

2026年3月期 決算説明会

2026年5月13日

JCRファーマ株式会社

【証券コード】 4552

【問合せ先】 経営戦略本部 広報・IR室 ir-info@jp.jcrpharm.com

- 本資料におきまして、当社に関する業績、その他予想、見通し、目標、計画、その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる可能性があります。
- 本資料には医薬品・医療機器（開発中のものを含む）に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。
- 本資料の数字は百万円以下切り捨て、パーセンテージを任意の位で四捨五入し表示しています。そのため、合計数時に差異が生じる場合があります。

これまでの成果と今後の展望

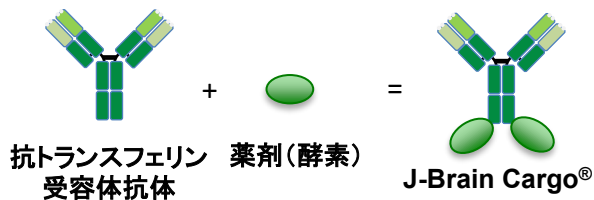
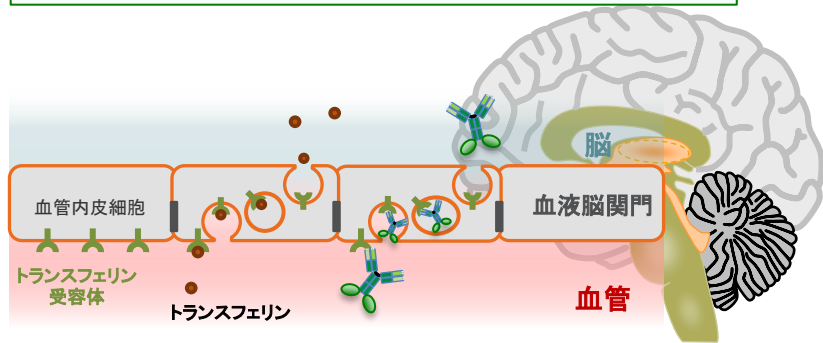
園田 啓之

代表取締役社長

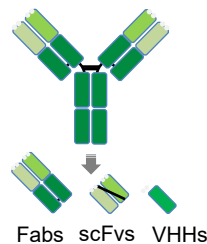
Chief Scientific Officer

2021

J-Brain Cargo[®]を適用した医薬品（イズカーゴ[®]）が日本で製造販売承認を取得



プラットフォーム技術としての適用範囲を拡充



神経変性疾患	神経炎症
神経腫瘍	神経筋疾患
タンパク質 (酵素・抗体)	遺伝子治療
	JUST-AAV
核酸 (ASO, siRNA)	脂質ナノ粒子 (mRNA、低分子化合物)

開発番号	対象疾患	開発段階				備考
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3	
JR-141	ムコ多糖症II型（ハンター症候群）	Global Ph3				<ul style="list-style-type: none"> ～2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
JR-142	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	Ph3（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 2026年3月：患者登録を完了
JR-401G	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	Ph3（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 2026年4月：第一症例への投与を開始 既存製剤「グロウジェクト」の承認用量変更を目指した用量比較試験
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Global Ph1/2 completed				<ul style="list-style-type: none"> 導出に向けて交渉中
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）	Ph1/2（ドイツ）				<ul style="list-style-type: none"> Ph1/2：当初予定していた投与群での1年間の臨床データを取得 Ph1：目標症例数の登録完了 日本での早期の承認取得を目指して対応中
		Ph1（日本）				
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）	Ph1/2（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 最初の cohorts の患者登録を完了 日本での早期の承認取得を目指して対応中 メディパルホールディングスに導出
JR-471	フコシドーシス					<ul style="list-style-type: none"> 2026年3月：自然歴研究を開始 メディパルホールディングスに導出
JR-479	GM2ガングリオシドーシス（テイ・サックス病、サンドホフ病）					<ul style="list-style-type: none"> メディパルホールディングスに導出
Givinostat	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	US、EU等で承認取得済み				<ul style="list-style-type: none"> 2028年までの国内承認取得を目指し、開発計画を当局と相談中

J-Brain Cargo®

- アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ（神経変性疾患治療薬、核酸医薬品）
- Angelini Pharma（てんかん）
- Acumen Pharmaceuticals, Inc.（アルツハイマー病）

JUST-AAV

- アレクシオン・アストラゼネカ・レアディーズ
- 株式会社モダリス

Menagen Pharmaceutical Industries LLC

- アガルシダーゼ ベータBSの開発・販売権の許諾（中東・トルコ・北アフリカの9カ国）

基盤技術の
導出

開発品目の
導出

株式会社メディパルホールディングス

- 超希少疾病治療薬の導出（JR-471, JR-446, JR-479）

国内承認製品の
海外展開



高付加価値の
製造受託

サンバイオ株式会社

- アクーゴ®脳内移植用注の商用製造に向けての試製造に係る製造委受託

自社の強みに合う
希少疾病薬の
導入

Italfarmaco S.p.A.

- デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療薬 Givinostatの導入
- 希少疾病治療薬に関する戦略的提携

1 筋再生の促進・線維化/脂肪化の抑制・免疫/炎症の抑制に対する複合的な作用機序

- HDACを阻害する作用機序のため、遺伝子変異に依存せず使用可能

2 海外での承認実績

- 米国、EU、その他複数の国での承認¹
- プラセボ対照の第III相臨床試験で、主要評価項目を達成²
(4SC試験での平均変化量 (右図))

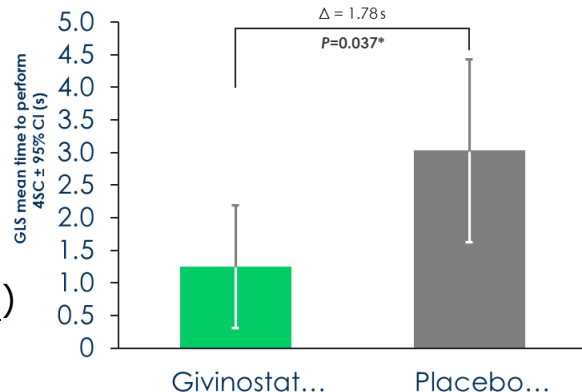
3 エビデンス拡充を目指した臨床試験が進行中

- 歩行不能のDMD患者を対象とした第III相試験 ([NCT05933057](#))
- 2~5歳のDMD患者を対象とした第II相試験 ([NCT06769633](#))

4 大きな商業的ポテンシャル

- 日本のDMD患者総数：約3,500名³
 - 6歳以上のDMD患者：3,000名以上⁴
 - 6歳以上かつ歩行可能なDMD患者：1,000名以上⁴

72週時点におけるベースラインからの平均変化量(非対数変換)



*Data are means and 95% confidence intervals. The confidence intervals have not been adjusted for multiplicity and should not be used for hypothesis testing. Baseline mean values were 3.39 s and 3.48 s for the givinostat and placebo groups, respectively. All patients were also receiving systemic corticosteroids in a dose and regimen that was to remain unchanged over the follow-up period.

DMD, duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase; 4SC, 4-stair climb.

1. 米国：6歳以上のDMD患者を適応として承認、EU：ステロイドを併用している6歳以上の歩行可能なDMD患者を適応として条件付き承認 2. Mercuri E et al. *Lancet Neurol.* 2024;23(4):393-403.
3. 川井 充. *脳と発達.* 2013;45(Suppl.):S324. 4. 右記情報を基に当社にて算出 (Remudy (Registry of Muscular Dystrophy) およびNakamura H et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013;8:60)

2030年代、売上高**1,000**億円企業に

3つの成長ドライバーで実現



国内売上 (導入品を含む)

国内製品の販売拡大と
導入品の積み上げ



技術ライセンス収入

プラットフォーム技術の導出
によるライセンス収入の拡大



海外収益 (LSDパイプライン)

LSDパイプラインの導出に
よる海外からの収益拡大

開発品目の進捗

Anne Bechet

常務執行役員 開発本部長

JCR Europe B.V. General Manager

JCR USA Inc. CEO

グローバル臨床第III相試験 (JR-141-GS31試験) : STARLIGHT試験 概要

(試験概要)

◆ Cohort A :
(Neuronopathic patients)

N=60



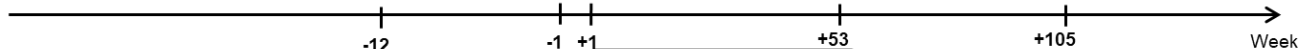
標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

JR-141投与 2.0 mg/kg/週 (約3時間投与)

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

53週以降、条件を満たせば
群の移動が可能

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)



◆ Cohort B :
(Attenuated patients)

N=20



標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

JR-141投与
2.0 mg/kg/週 (約3時間投与)

標準治療
(イデュルスルファーゼ投与)

2025年 6月 FDA相談にて建設的な議論を実施

2025年 7月 目標症例数80例の組入れを達成

**2027年度での米国、欧州、ブラジルでの承認取得に向け
予定通りにプロジェクトが進行中**

開発番号	対象疾患	開発段階				備考
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3	
JR-141	ムコ多糖症II型（ハンター症候群）	Global Ph3				<ul style="list-style-type: none"> ～2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
JR-142	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	Ph3（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 2026年3月：患者登録を完了
JR-401G	骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	Ph3（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 2026年4月：第一症例への投与を開始 既存製剤「グロウジェクト」の承認用量変更を目指した用量比較試験
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	Global Ph1/2 completed				<ul style="list-style-type: none"> 導出に向けて交渉中
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）	Ph1/2（ドイツ）				<ul style="list-style-type: none"> Ph1/2：当初予定していた投与群での1年間の臨床データを取得 Ph1：目標症例数の登録完了 日本での早期の承認取得を目指して対応中
		Ph1（日本）				
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）	Ph1/2（日本）				<ul style="list-style-type: none"> 最初の cohorts の患者登録を完了 日本での早期の承認取得を目指して対応中 メディパルホールディングスに導出
JR-471	フコシドーシス					<ul style="list-style-type: none"> 2026年3月：自然歴研究を開始 メディパルホールディングスに導出
JR-479	GM2ガングリオシドーシス（テイ・サックス病、サンドホフ病）					<ul style="list-style-type: none"> メディパルホールディングスに導出
Givinostat	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	US、EU等で承認取得済み				<ul style="list-style-type: none"> 2028年までの国内承認取得を目指し、開発計画を当局と相談中

2026年3月期 連結業績
2027年3月期 連結業績予想

伊藤 洋
常務執行役員 経営戦略本部長

本資料に掲載している前年度実績値は、訂正後の「2025年3月期 決算短信〔日本基準〕（連結）」に記載の数値を反映しています。

(単位：百万円)

連結	2025年3月期	2026年3月期		
	実績	実績	前年同期比	
			増減額	増減率
売上高	33,072	40,319	+7,247	+21.9%
売上原価	10,902	10,134	△767	△7.0%
売上総利益	22,169	30,185	+8,015	+36.2%
販売費及び一般管理費	28,389	29,629	+1,240	+4.4%
販売・一般管理費	12,958	12,867	△90	△0.7%
研究開発費	15,431	16,761	+1,330	+8.6%
営業利益	△6,219	555	+6,775	-
営業外収益	260	1,449	+1,188	+455.5%
営業外費用	1,088	839	△248	△22.9%
経常利益	△7,046	1,165	+8,212	-
特別利益	1,065	2,091	+1,026	+96.3%
特別損失	2	32	+30	-
税引前純利益	△5,983	3,224	+9,208	-
法人税等	△1,523	1,046	+2,569	-
親会社株主に帰属する当期純利益	△4,460	2,178	+6,638	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の研究開発費	16,994	18,398	+1,403	+8.3%

連結決算概要に関する補足説明

- 売上高の増加はイズカーゴ[®]等の製品売上および契約金収入の増加によるもの
- 売上原価率（契約金除く）は前年度比で大幅に低下。ただし、前年度は原材料等の廃棄損の影響を含んでおり、廃棄損を除いたベースでは前年度並み
- 研究開発費は臨床開発費の増加、ライセンス契約に伴う一時金の計上により増加。前年度は在庫の廃棄損を計上
- 営業外収益は為替差益、有価証券売却益の計上により増加
- 営業外費用では持分法による投資損失、為替差損が減少
- 神戸サイエンスパークセンター（原薬工場）の補助金確定に伴い、特別利益として助成金収入を計上

対売上高	2025年3月期	2026年3月期	増減
売上原価率	33.0%	25.1%	△7.9%
売上原価率 (契約金除く)	32.2%	27.6%	△4.6%
研究開発費率	46.7%	41.6%	△5.1%
営業利益率	△18.8%	1.4%	+20.2%

(単位：百万円)

連結	2025年3月期	2026年3月期		
	実績	実績	前年同期比	
			増減額	増減率
グロウジェクト®	18,098	17,933	△164	△0.9%
イズカーゴ®	5,718	6,766	+1,047	+18.3%
テムセル®HS注	2,904	2,831	△73	△2.5%
腎性貧血治療薬	3,784	3,622	△162	△4.3%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	1,690	1,121	△569	△33.7%
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」	2,093	2,501	+407	+19.5%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	1,149	1,292	+142	+12.4%
医薬品合計	31,655	32,446	+790	+2.5%
契約金収入	517	5,549	+5,032	+972.8%
その他	898	2,323	+1,425	+158.5%
売上高合計	33,072	40,319	+7,247	+21.9%

売上高内訳に関する補足説明

- グロウジェクト®、イズカーゴ®、テムセル®
HS注は堅調に推移、公表計画を上回った
- 腎性貧血治療薬は販売先であるキッセイ薬品工業株式会社への供給計画に準じた売上高
- アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」は販売先である住友ファーマ株式会社への供給計画に準じた売上高
- 契約金収入は契約一時金や既存の契約におけるマイルストーン収入によるもの

(単位：百万円)

	2025年 3月末	2026年 3月末	増減 ・ 主な増減項目		2025年 3月末	2026年 3月末	増減 ・ 主な増減項目
流動資産	51,487	56,076	計 +4,588	流動負債	43,683	48,135	計 +16,448
			・ 売掛金および契約資産 +1,927				・ 短期借入金 +15,637
			・ 棚卸資産 +1,813	固定負債	13,431	13,741	計 △11,686
							・ 圧縮未決算特別勘定 △11,750
固定資産	53,361	53,160	計 △201	負債合計	57,114	61,877	計 +4,762
				純資産合計	47,734	47,359	・ 配当の支払 △2,442
							・ 当期純利益 +2,178
合計	104,849	109,236	4,386	合計	104,849	109,236	4,386

財務状態に関する補足説明

- ・ 棚卸資産の増加は原材料および貯蔵品が増加したことによるもの
- ・ 短期借入金増加は新製剤工場の建設、運転資金のための資金調達によるもの
- ・ 神戸サイエンスパークセンター（原薬工場）の補助金確定により圧縮未決算特別勘定と補助金対象の有形固定資産が減少した

	2025年 3月末	2026年 3月末
自己資本率	45.1%	42.9%

(単位：百万円)

連結	2026年 3月期	2027年3月期		
	実績	予想	前年同期比	
			増減額	増減率
売上高	40,319	45,700	+5,381	+13.3%
売上原価	10,134	10,600	+466	+4.6%
売上総利益	30,185	35,100	+4,915	+16.3%
販売費および一般管理費	29,629	33,900	+4,271	+14.4%
販売・一般管理費	12,867	14,500	+1,633	+12.7%
研究開発費	16,761	19,300	+2,539	+15.1%
営業利益	555	1,100	+545	+98.2%
経常利益	1,165	500	△665	△57.1%
親会社株主に帰属する 当期純利益	2,178	200	△1,978	△90.8%
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の研究開発費	18,398	24,300	+5,902	+32.1%

連結決算概要（予想）に関する補足説明

- 売上高は契約金収入の増加等により、前期を上回る見込み
- 販売・一般管理費は支払手数料等が前期比で増加する見込み。また、研究開発費についてもグローバルおよび日本国内での臨床試験を加速させるため、前期比で増加する見込み
- 営業利益は、費用の増加はあるものの、売上の増加により、前期比で増益となる見込み
- 経常利益および親会社株主に帰属する当期純利益は、前期に計上した為替差益、有価証券売却益、助成金収入の計上を当期は見込んでいないため減益となる見込み

対売上高	2026年 3月期	2027年 3月期	増減
売上原価率	25.1%	23.2%	△1.9%
売上原価率（契約金除く）	27.6%	26.7%	△0.9%
研究開発費率	41.6%	42.4%	+0.8%
営業利益率	1.4%	2.6%	+1.2%

（単位：百万円）

連結	2026年3月期		2027年3月期		
	実績	予想	前年実績比		
			増減額	増減率	
グロウジェクト®	17,933	17,500	△433	△2.4%	
イズカーゴ®	6,766	6,900	+134	+2.0%	
テムセル®HS注	2,831	2,700	△131	△4.6%	
腎性貧血治療薬	3,622	3,700	+78	+2.2%	
エポエチンアルファ BS注「JCR」	1,121	1,400	+279	+24.9%	
ダルベオエチンアルファ BS注「JCR」	2,501	2,300	△201	△8.0%	
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	1,292	2,000	+708	+54.8%	
医薬品合計	32,446	32,900	+454	+1.4%	
契約金収入	5,549	8,100	+2,551	+46.0%	
その他	2,323	4,500	+2,177	+93.7%	
売上高合計	40,319	45,700	+5,381	+13.3%	

売上高内訳（予想）に関する補足説明

- グロウジェクト®は前期並みの販売数量を見込むが、薬価改定の影響により、売上高の減少を想定
- イズカーゴ®は投与症例数の増加により、継続した売上の増加を見込む
- テムセル®は競合環境の変化により、前期比で売上の減少を見込む
- 腎性貧血治療薬とアガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」は販売先への供給計画に準じた売上高を見込んでおり、堅調な推移を想定
- 契約金収入は製品導出のライセンス契約の締結、既存の共同研究の進捗などにより、前期を上回る水準を見込む



Life is Rare



Life is Rare

Appendix



グロウジェクト®

効能・効果	用量
骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症	0.175 mg/kg/週
骨端線閉鎖を伴わないターナー症候群における低身長	0.35 mg/kg/週
成人成長ホルモン分泌不全症（重症に限る）	0.021~0.084 mg/kg/週
骨端線閉鎖を伴わない子宮内発育遅延（SGA）性低身長症	0.23~0.47 mg/kg/週
骨端線閉鎖を伴わないSHOX異常症における低身長	0.35 mg/kg/週

連日投与の成長ホルモン製剤を使用するにあたり、**海外では患者の治療反応性に応じて用量調整を行うことが許容されている**

（米国では 0.175~0.3 mg/kg/週の範囲で用量調整が可能）

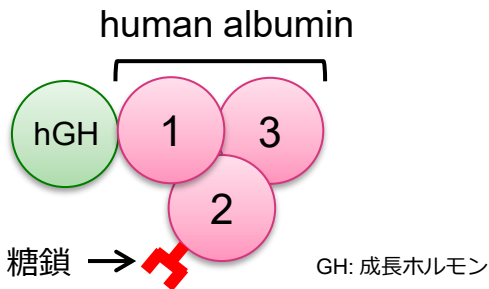
日本と海外での用法用量のギャップを埋めることで成長ホルモン治療における最終身長の改善や生活の質（QOL）向上を期待し、**用量調整可能な用法用量の開発に着手**

JR-142

遺伝子組換え長時間作用型成長ホルモン

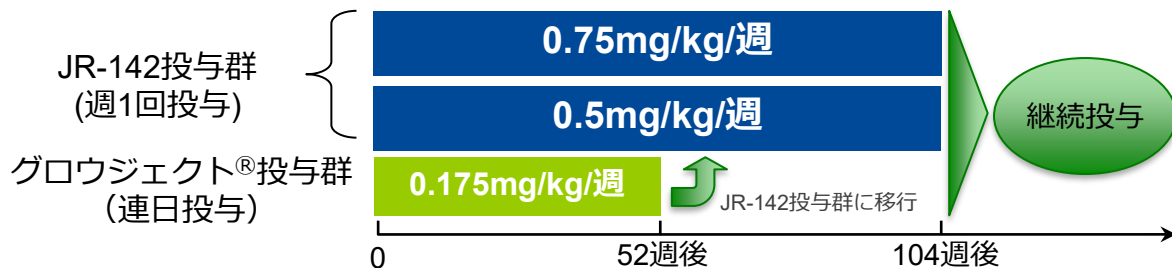
適応症：骨端線閉鎖を伴わない成長ホルモン分泌不全性低身長症

改変型アルブミン融合GH



血中滞留性の向上のため、糖鎖を付加した改変型アルブミンとの融合タンパクを自社開発

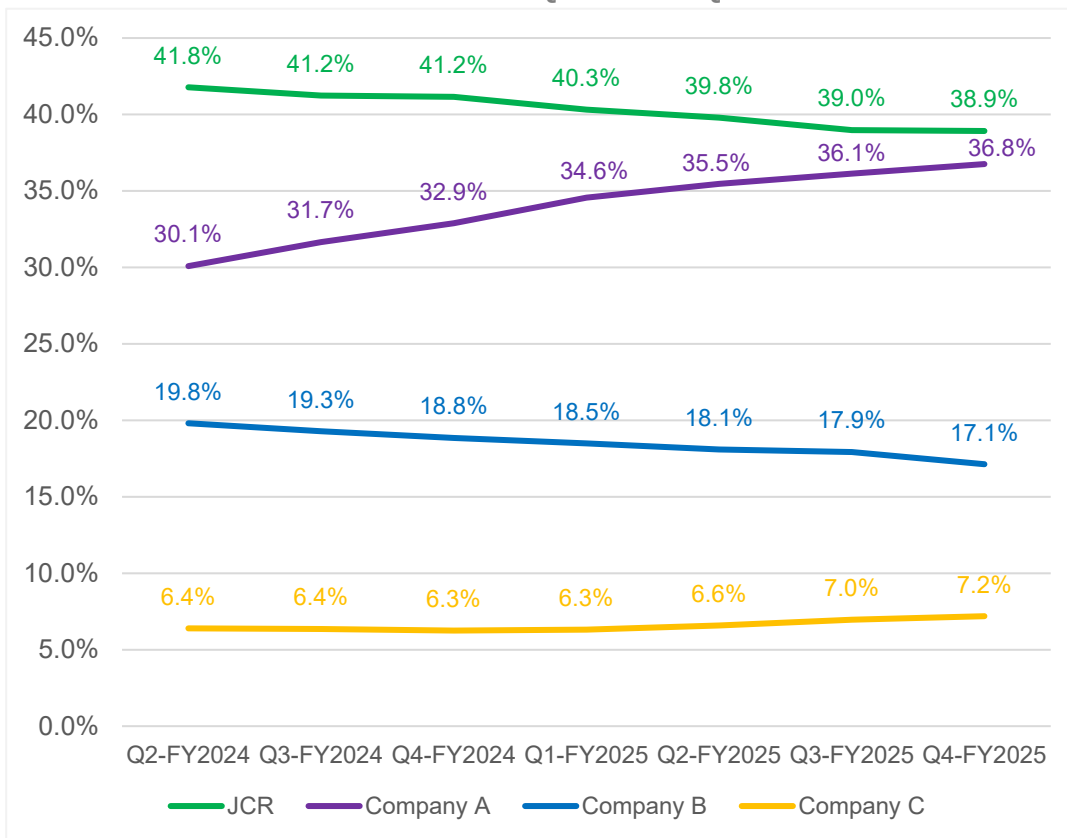
臨床第III相試験 概要



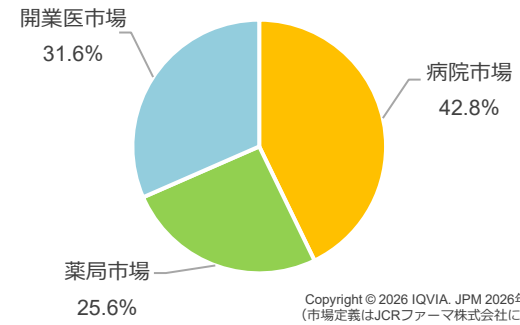
概要	
目的	<ul style="list-style-type: none"> グロウジェクトに対するJR-142の非劣性の検証、並びに有効性および安全性の比較評価
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> 52週後での暦年齢相当身長SDSの初回投与時からの変化量 (Δ暦年齢相当身長SDS)
目標症例数	<ul style="list-style-type: none"> 54名

臨床第III相試験の患者登録を完了

国内GH市場シェア推移（FY2024 Q2～FY2025 Q4）※薬価ベース



■国内GH市場



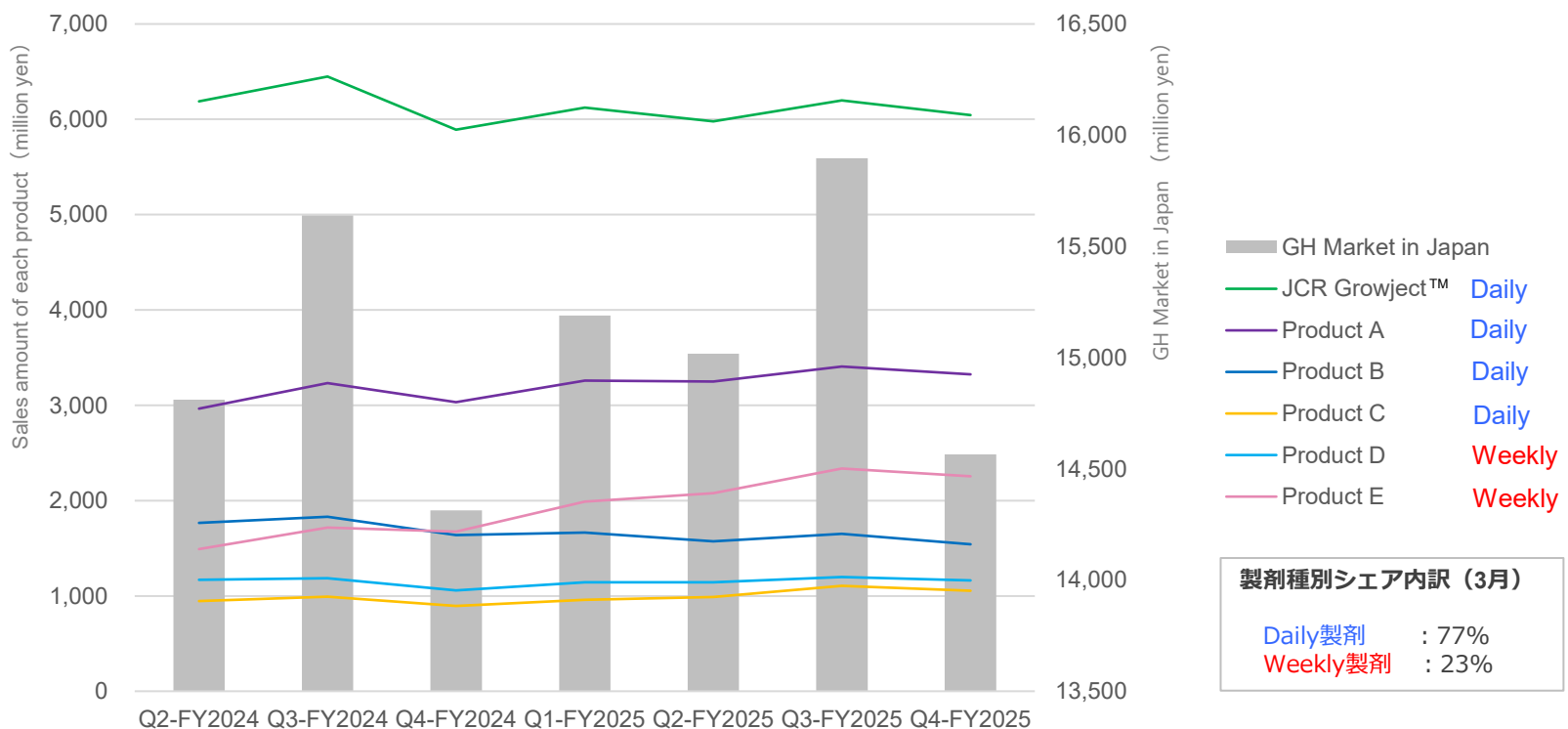
Copyright © 2026 IQVIA. JPM 2026年3月MATを基に作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

■各市場別 グロウジェクト®獲得シェア

	2026年 3月時点	FY2025 Q4売上増減 (vs FY2024 Q4売上) ※薬価ベース
病院市場	31.1%	-88百万円
薬局市場	29.2%	-48百万円
開業医市場	56.0%	-85百万円

Copyright © 2026 IQVIA. JPM (2026年1月-2026年3月) を基に作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

国内GH市場推移 (FY2024 Q2~FY2025 Q4) ※薬価ベース

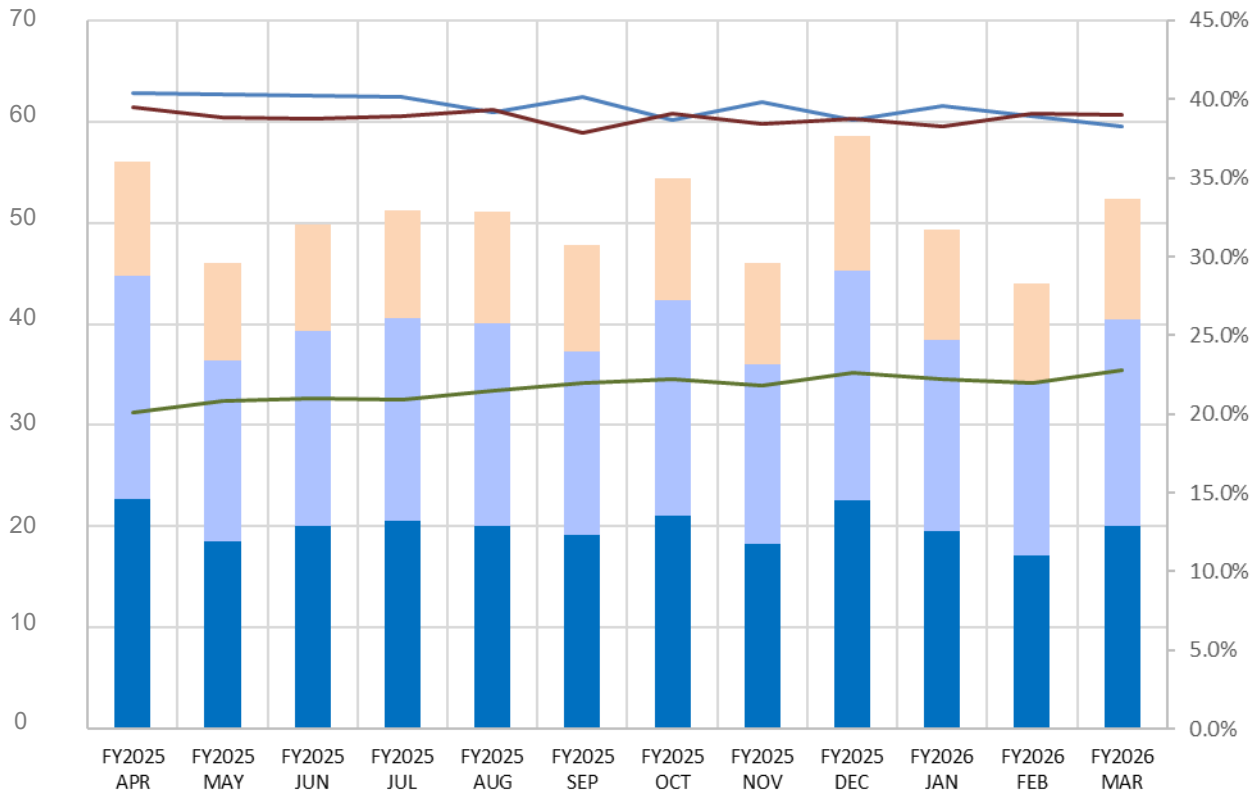


製剤種別シェア内訳 (3月)

Daily製剤 : 77%

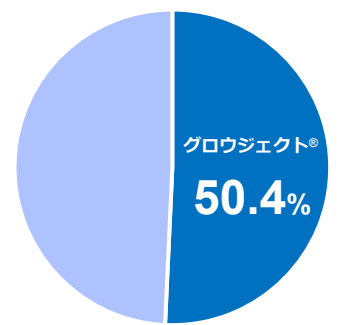
Weekly製剤 : 23%

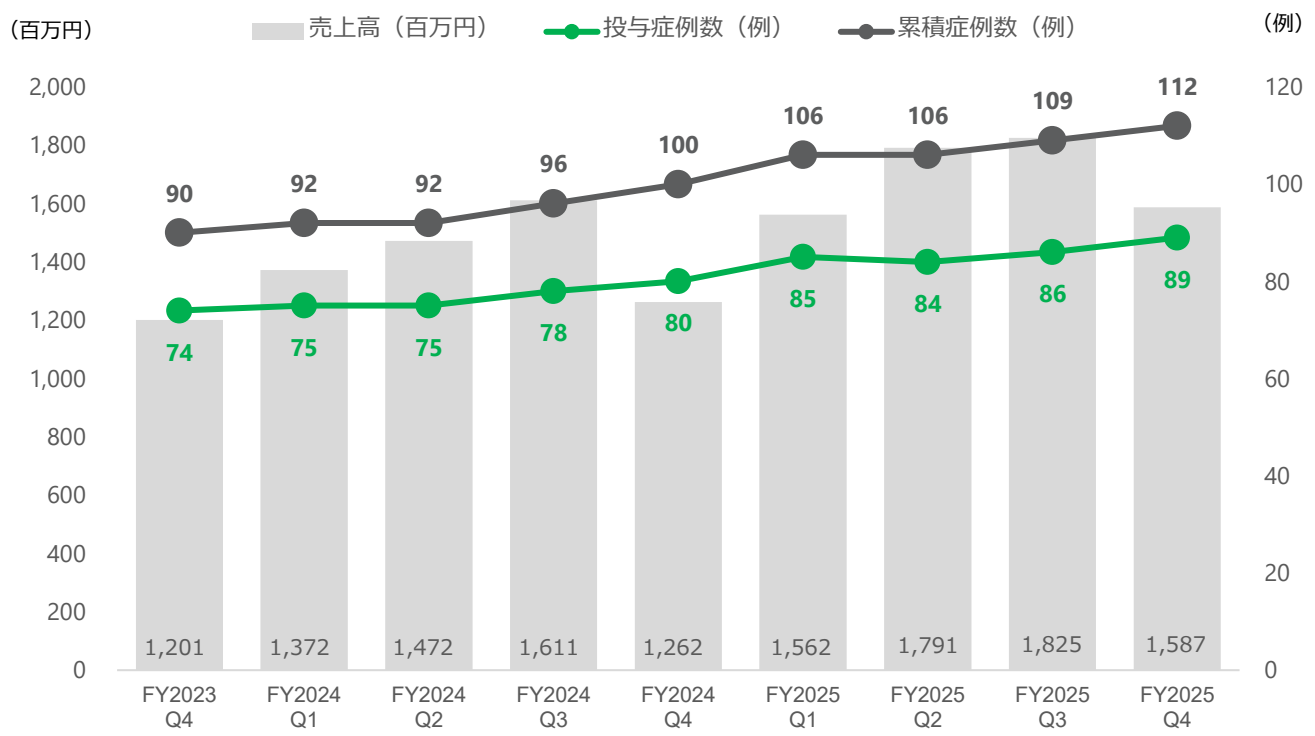
(億円)



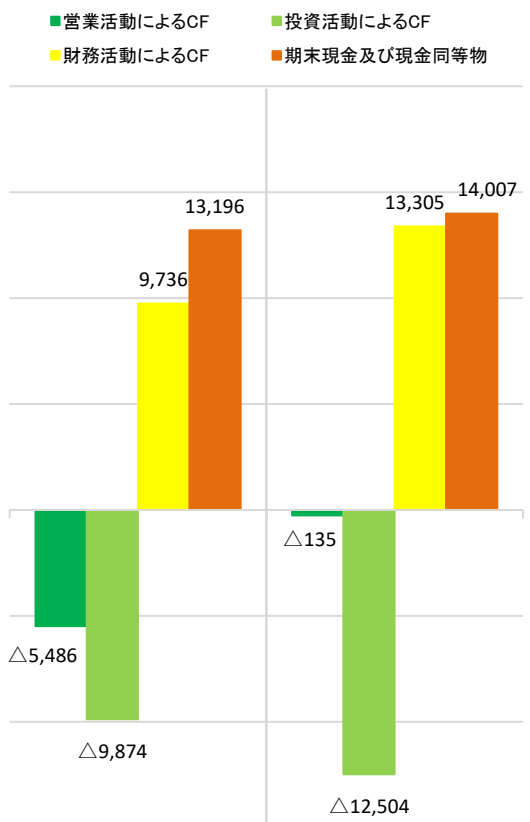
- Weekly製剤売上高
- Daily製剤売上高 (グロウジェクト®を除く)
- グロウジェクト®売上高
- Daily製剤シェア (グロウジェクト®を除く)
- グロウジェクト®シェア
- Weekly製剤シェア

Daily製剤の売上高シェア
APR 2025-MAR 2026





(単位：百万円)



2025年3月期

2026年3月期

	2025年3月期	2026年3月期	増減
税金等調整前純利益	△5,983	3,224	9,208
減価償却費	3,374	2,557	△816
売上債権・未収入金 (△増加)	2,453	△1,925	△4,379
棚卸資産 (△増加)	△1,253	△1,853	△599
仕入債務・未払金 (+増加)	△36	△106	△69
法人税等の支払	△2,284	763	3,048
その他	△1,755	△2,796	△1,040
営業活動によるCF	△5,486	△135	+5,350
設備投資	△9,973	△11,581	△1,607
その他	99	△922	△952
投資活動によるCF	△9,874	△12,504	△2,629
借入金	14,805	15,787	982
配当金・自己株式	△5,014	△2,433	2,580
その他	△54	△47	6
財務活動によるCF	9,736	13,305	+3,569
現金及び現金同等物の増減額	△5,559	811	+6,371
期末現金及び現金同等物	13,196	14,007	+811
	2025年3月期	2026年3月期	
減価償却費	3,374	2,557	
設備投資	9,973	11,581	

AAV	Adeno-associated virus	アデノ随伴ウイルス
BBB	Blood-brain barrier	血液脳関門
CNS	Central nervous system	中枢神経系
ERT	Enzyme replacement therapy	酵素補充療法
FDA	Food and Drug Administration	米国食品医薬品局
GH	Growth hormone	成長ホルモン
GHD	Growth hormone deficiency	成長ホルモン分泌不全性低身長症
i.v.	Intravenous injection	静脈注射
JBC	J-Brain Cargo®	-
LSD	Lysosomal storage disorders	ライソゾーム病
MENAT	Middle East, North Africa and Turkey	中東、北アフリカ、トルコ
MPS	Mucopolysaccharidosis	ムコ多糖症
mRNA	messenger RNA	伝令RNA
Ph I	Phase I	臨床第 1 相試験
Ph II	Phase II	臨床第 2 相試験
Ph III	Phase III	臨床第 3 相試験
R&D	Research and development	研究開発
TfR	Transferrin receptor	トランスフェリン受容体
YTD	Year to date	年度累計