



JCR ファーマ株式会社

2026 年 3 月期決算説明会

2026 年 5 月 13 日

イベント概要

[企業名]	J C R ファーマ株式会社
[企業 ID]	4552
[イベント言語]	JPN
[イベント種類]	決算説明会
[イベント名]	2026 年 3 月期決算説明会
[決算期]	2026 年 3 月期 第 4 四半期
[日程]	2026 年 5 月 13 日
[ページ数]	30
[時間]	16:00 – 17:06 (合計：66 分、登壇：32 分、質疑応答：34 分)
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	5 名 代表取締役会長 芦田 透 (以下、芦田) 代表取締役社長 チーフサイエンティフィックオフィサー 菌田 啓之 (以下、菌田) 常務執行役員 経営戦略本部長 伊藤 洋 (以下、伊藤)

常務執行役員 開発本部長 JCR Europe B.V. General Manager, JCR USA Inc.

CEO アン・ベシェ（以下、ベシェ）

エキスパートフェロー 経営戦略本部 新製品企画室長

谷澤 和紀（以下、谷澤）

[アナリスト名]*

（敬称略）

モルガン・スタンレーMUFG 証券

村岡 真一郎

シティグループ証券

山口 秀丸

大和証券

橋口 和明

野村證券

前田 晃太

SBI 証券

川村 龍太

ジェフリーズ証券

山木田 雅

みずほ証券

石田 優理子

*質疑応答の中で発言をしたアナリスト、または質問が代読されたアナリストの中で、SCRIPTS Asia が特定出来たものに限る

登壇

司会：ただいまより、JCRファーマ株式会社 2026 年 3 月期決算説明会を開催いたします。本日のプレゼンテーションおよび質疑応答は、後日、弊社公式ホームページにて動画およびスクリプトを配信いたします。説明会にあたっての注意事項はご覧のとおりでございます。

それでは、本日の登壇者をご紹介します。代表取締役会長、芦田透。

芦田：よろしくお願いします。

司会：代表取締役社長、藺田啓之。

藺田：よろしくお願いします。

司会：常務執行役員 経営戦略本部長、伊藤洋。

伊藤：よろしくお願いいたします。

司会：常務執行役員 開発本部長、アン・ベシエ。

ベシエ：グッドアフタヌーン。

司会：エキスパートフェロー 経営戦略本部 新製品企画室長、谷澤和紀。

谷澤：よろしくお願いします。

司会：以上 5 名でございます。

本説明会の資料は、本日 15 時 30 分に開示をいたしました。予定時刻に遅れての開示となったこと、大変申し訳ございませんでした。本説明会は、プレゼンテーションおよび質疑応答を含めた約 1 時間を予定しております。ご質問は、プレゼンテーションがすべて終了した後、まとめてお受けいたします。質疑応答のお時間は、約 40 分の予定です。

まず初めに会長の芦田、次に社長の藺田より、順番にご挨拶をさせていただきます。芦田会長、よろしくお願いします。

芦田：本日はお忙しい中、当社の決算説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。4 月より会長に就任いたしました、芦田と申します。どうぞよろしくお願いいたします。まず

は、平素より株主・投資家の皆様、お取引先の皆様をはじめ、当社を支えていただいている全てのステークホルダーの皆様に心より御礼申し上げます。

当社は現在、事業環境の変化に迅速に対応しながら、中長期的な成長に向けた経営基盤の強化を進めております。そうした中で新たな経営体制の下、企業価値の持続的な向上に取り組んでまいります。

新社長の菌田は、当社の研究分野を長く牽引してきた人材であり、サイエンス、研究への深い理解と将来を見据えた視点を兼ね備えております。今後は、社長である菌田が業務執行の先頭に立ち、研究開発とその収益化のスピードをさらに高めていく一方、私は会長としてファウンダーが培ってきた創業の精神を引き継ぎ、また取締役会議長としての役割を果たしながら、経営全体の方向づけやガバナンスの強化、そして国内既存製品の売上最大化を目指すことで、社長の取り組みを支えてまいります。

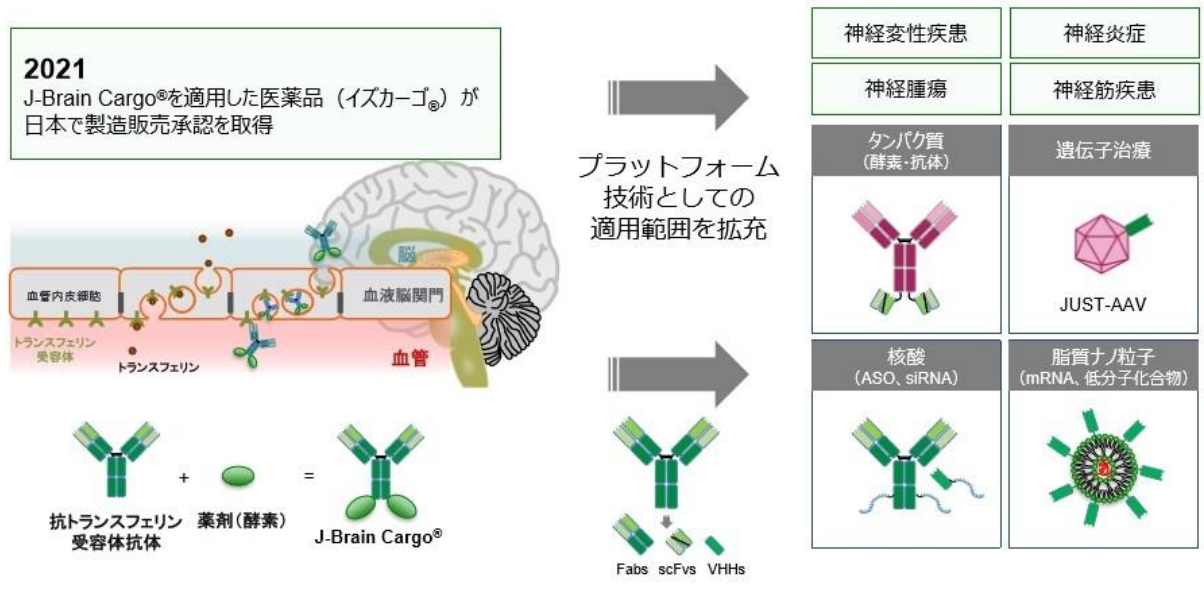
この新体制の下、当社の強みである研究開発力、また現場力を着実に成果につなげ、成長戦略を着実に実行してまいりたいと考えております。引き続き、皆様のご理解とご支援を賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。

私からは以上です。本日はどうぞよろしくお願いいたします。

司会：菌田社長、よろしくお願いいたします。

菌田：皆さん、こんにちは。菌田でございます。改めて本日の決算説明会にご参加いただき、ありがとうございます。先ほど芦田からも紹介がありましたが、この4月から代表取締役社長、そしてチーフサイエンティフィックオフィサーとしてやっております。今後とも、どうぞよろしくお願いいたします。

昨年ちょうど50周年を迎えて、その際にもいろいろとお話をさせていただきました。われわれは研究とモノづくりに焦点を当てて、50年歩んでまいりました。今ではモノづくりと研究に焦点を置きつつ、希少疾患の領域に軸足を置いた研究開発を精力的に進めております。今後もちろん身の丈に合った、しかし最大限の研究開発投資をしていきたいと思っていますし、それができる経営体制、会社の体制を整えつつ、希少疾患の治療薬を一つでも多く創り出して、1日でも早く患者さんの元に届けたいと思っています。



私から最初に、これまでの成果と今後の展望ということで、プレゼンテーションをさせていただきたいと思います。

われわれは血液脳関門通過技術、J-Brain Cargo を開発し、これを基にさまざまなパイプラインをつくり上げてきています。一番最初に開発をしたイズカーゴ、ハンター症候群の治療薬になりますが、これが2021年に日本で承認されています。それから5年が経とうとしておりますが、その間、J-Brain Cargo の技術にさらに磨きをかけて、今ではさまざまなモダリティに適用可能となっています。

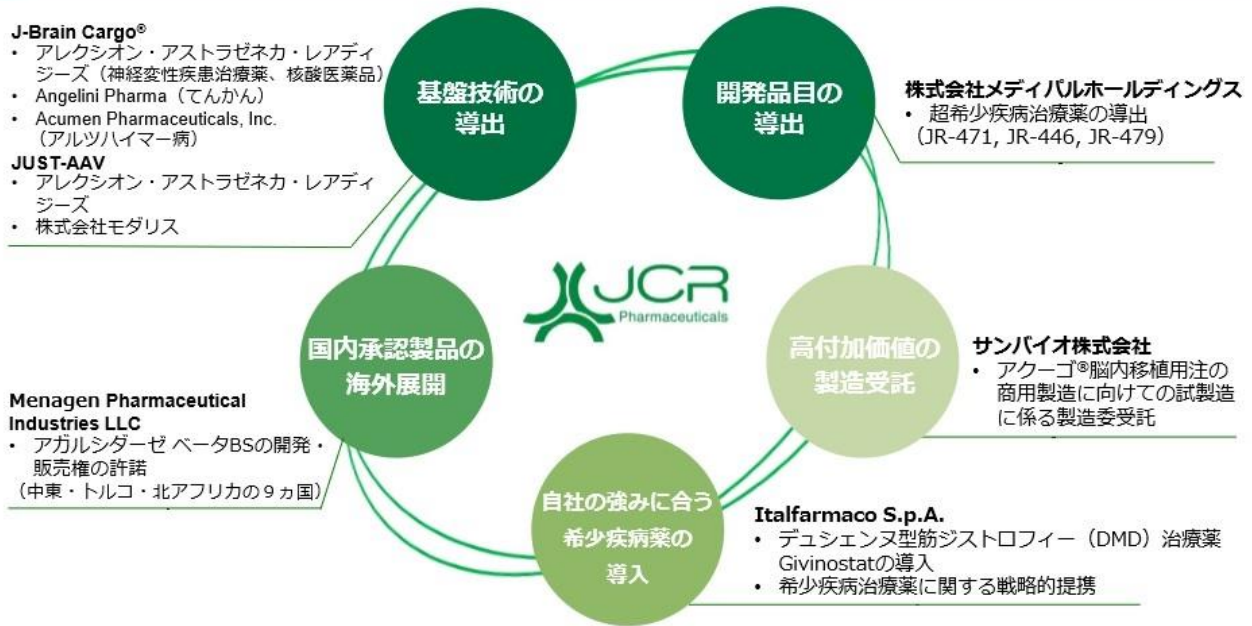
2021年時点では、酵素にJ-Brain Cargo を適用したものがイズカーゴとして承認されました。現在では酵素や組換えタンパクはもちろんのこと、抗体医薬、核酸医薬、そして遺伝子治療のベクターであるAAV、アデノ随伴ウイルス、そしてLNP、リピッドナノパーティクルといったものに、J-Brain Cargo の技術が適用可能になっています。J-Brain Cargo はその名のとおり、脳へのデリバリー技術です。同じ技術コンセプトで、脳以外の組織にターゲットする技術も開発を進めています。これらの技術を基に、さらなる医薬品の開発、新技術の開発を進めています。

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II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 (サンフィリップ症候群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 (サンフィリップ症候群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 メディアバ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 メディアバ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"> メディアバ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

4

現在のわれわれの開発パイプラインです。ここに示しているパイプラインの多くが、J-Brain Cargo を使ったライソゾーム病、希少疾患のパイプラインになります。これらについては、後ほどアン・ベシェより開発状況について説明します。

それ以外のところでは、われわれが長年やってきた成長ホルモンのフランチャイズの2製品も含めて、合計6プロジェクトが臨床段階にあります。スライドのテーブルの一番下にある Givinostat が、昨年末に公表しましたイタリアのイタルファルマコ社から導入をしたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療薬になります。こちらについても、後ほど紹介したいと思います。



今後どのように会社の価値を高めていくか、価値を創出していくかということをこのスライドで示しております。

まずは左上です。基盤技術の導出になります。先ほどもお話しました J-Brain Cargo、それを使った新しい遺伝子治療技術、JUST-AAV、この二つによって自社の開発品、また他社さんとのコラボレーションを積極的に進めています。

J-Brain Cargo から出てきた開発品は右上になります。新たにつくったこのアセットを導出することも一つ、大きなわれわれの成長戦略になります。

日本で承認を取った品目に関して、日本以外の海外の国で販路を広げていくことも積極的にやっております。

今度は導入になります。これまでは自分たちがつくったものを外にという方向でしたが、そうではなくて海外から日本にという、われわれが今までやってきたのと逆向きの方向になりますが、そういったものも希少疾患の領域において、われわれの強みと合致するものに関しては今後も積極的にやっていきたいと思っています。その一つが、先ほどもお話しましたイタルファルマコ社からの導入品、Givinostat になります。

そしてもう一つ、われわれが大切にしてきたと先ほど申し上げましたモノづくりの経験とノウハウを生かして、非常にものをつくるのが難しい分野、再生医療や遺伝子治療といったところのモノづ

くり力を生かして、高付加価値の製造受託も進めていきたいと思ひます。このあたりのバランスをうまく取りながら、安定的に成長していける会社を目指したいと考えています。



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))

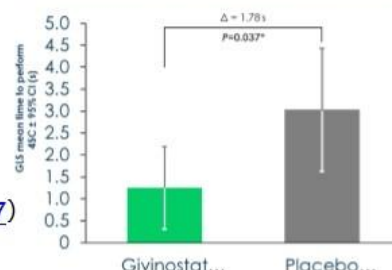
3 エビデンス拡充を目指した臨床試験が進行中

- 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 亮. 脳と発達. 2013;45(Suppl.):S324.

4. 右記情報を基に当社にて算出 (Remedy (Registry of Muscular Dystrophy) および Nakamura H et al. Orphanet J Rare Dis. 2013;8:60)

ここで Givinostat、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 (DMD) について少し紹介したいと思います。

Givinostat は、経口の治療薬になります。筋ジストロフィーではステロイドが一般的によく使われますが、ステロイドとは異なりまして、HDAC インヒビターです。ヒストン脱アセチル化酵素の阻害剤になります。どういうことをするのかというと、今回の場合はデュシェンヌ型筋ジストロフィーになることで、遺伝子の発現パターンが少し変わってしまうわけです。その発現パターンをできる限り元に戻していくコンセプトの治療薬になります。

それによって、1番のところ、筋再生の促進や線維化や脂肪化の抑制、また炎症の抑制といった複合的な効果が出ます。これによって治療効果を発揮するという事です。Givinostat は海外の臨床試験で証明をして、米国、EU、その他複数の国ですでに承認されているものになります。エビデンスをさらに拡充するために、現在追加の臨床試験も行われています。

今、デュシェンヌ型筋ジストロフィーで求められている非常にアンメットなニーズに対して、大きなポテンシャルを持っています。それはイコール、商業的にも大きなポテンシャルを持っている剤だと認識しています。

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



7

われわれが今後目指していく姿、数字を表しています。

下に書いてありますが、左から国内製品の販売拡大、国内の売上をしっかりと伸ばしていきたいと
思います。ここは自社製品もそうですが、導入品も含め、受託製造も含め、できる限りのことをし
て国内の売上を伸ばしていきます。

二つ目は、技術ライセンスの収入です。先ほどもお話した J-Brain Cargo や JUST-AAV といったプ
ラットフォーム技術にさらに磨きをかけて、技術ライセンスを進めていき、それによる収入を得た
いということです。

もう一つは、一番右側です。LSD というのはライソゾーム病のことです。ライソゾーム病のアセ
ット、パイプラインを導出して、パートナーが海外で収益化して、その一部が JCR に返ってきま
す。

この収益、この三つを足して、2030 年代に売上 1,000 億円を目指して進んでいきたいと思いま
す。数字を達成するのが目標ではないです。数字は目標として掲げますが、この 1,000 億円を達成
すると、さらに研究開発に投資ができると思っています。今のわれわれの規模では、どんなに研究
開発を進めても、グローバルで一つの製品、二つの製品を開発をしていくのが精一杯なのが現状で
す。

一方でたくさんの希少疾患、まだアンメットニーズがたくさん残っています。そこに対してどれだ
けわれわれが新薬を開発する、もしくはその薬を開発するためのベースとなる新たなプラットフォ

ーム技術を開発できるか、ここがわれわれ JCR の存在価値になると思っています。この三つの基盤をきっちり育てて、収益を上げて、さらに新しい研究開発に投資をしていくことができる会社に育てていきたいと思っています。

私からは以上です。次は、アン・ベシエから、開発品について紹介したいと思います。

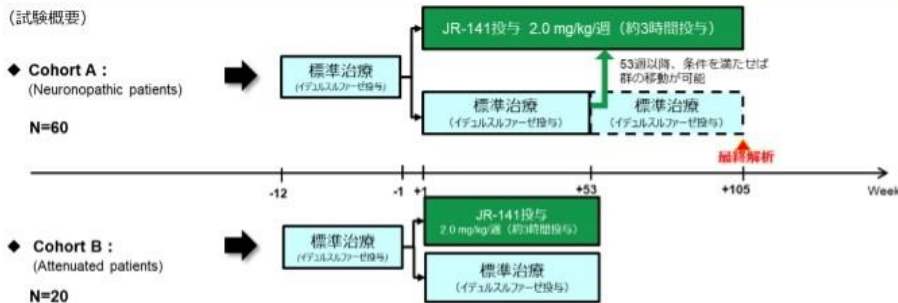
ベシエ*：皆様、こんにちは。アン・ベシエと申します。JCR の開発部門を率いております。本日はご参加いただきまして、ありがとうございます。2025 年の達成について、開発のパイプラインについて説明させていただければと思います。



JR-141 (pabinafusp alfa: BBB通過型MPS II型治療薬)

Life is Rare

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



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**

9

われわれのリードアセットである JR-141 です。

これは BBB 通過型の ERT (酵素補充療法)、ムコ多糖症 II 型の薬になります。グローバルで第 III 相の試験、STARLIGHT 試験を進めてまいります。こちらの試験ですが、80 人の患者さんが二つの Cohort に分かれます。Cohort A ですが、60 人の Neuronopathic の患者さんです。1 対 1 で無作為に、JR-141、そして SOC (標準治療) であるイデュルスルファーゼに割付られます。Cohort B に対しては、Attenuated の患者さんで 20 名です。同じく 1 対 1 で無作為に JR-141 と SOC に割付られます。

たくさんの進捗が見られております。大きな達成がありました。目標とした症例数の登録が完了しました。80 名の患者さんの登録が、2025 年 7 月と計画よりも前倒しで達成できました。現在、目

的を達成するために進めています。アメリカ、EU、ブラジルで、2027年度末までに承認を得ることを目指してまいります。



開発パイプライン

Life is Rare

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「グロウシェット」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（サンフィリップ症候群A型）	Ph1/2（ドイツ） Ph1（日本）				<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
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群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 メディバ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 メディバ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"> メディバ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

10

園田から説明がございましたが、J-Brain Cargo を適用すること、応用することが多様化されています。そして、さまざまな治療領域に適用されています。

まず、MPS II 型です。こちらが JR-141 となります。

二つ目は MPS I 型です。ハーラー症候群です。JR-171 です。現在、Phase1/2 の試験を完成しました。今、パートナーリングの活動を進めている段階でございます。

次のアセットは MPS IIIA 型です。サンフィリップ症候群 A 型です。JR-441 と名付けております。現在、1年間の臨床データ、当初計画されていた用量のグループで完了しています。全ての患者さんが、この治療を完了しています。日本での試験では患者さんの登録を完了しています。日本においては早期の承認を目指しているところです。

MPS IIIB 型は、サンフィリップ症候群 B 型です。JR-446 です。日本で今、試験が進んでおります。Phase1/2 の試験です。最初の Cohort の登録が完了しております。早期の承認を日本で目指してまいります。また、IND（米国での治験届）を今年初めに申請したことをご報告できますことをうれしく思います。FDA から、さらにこの試験を進めるように承認を得ています。これはメディバルホールディングスとのパートナーシップになります。

フコシドーシスです。JR-471 です。ナチュラルヒストリー試験を 2026 年 3 月に始める計画で進めております。メディパルからのパートナーシップを得ています。

JR-479 の活動も継続しています。GM2 ガングリオシドーシスです。今後の開発計画を策定中、継続中になります。

私からは以上となります。ご清聴ありがとうございました。

伊藤：こんにちは、伊藤でございます。よろしくお願いいたします。私からは、2025 年度の業績の説明と 2026 年度の連結業績予想についてご説明させていただきます。



2025年3月期の実績値の訂正について

Life is Rare

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。

12

説明に入ります前に、本日 2025 年 3 月期の実績値の訂正について、あるいはそれに関連しまして、決算短信の訂正のリリースをさせていただいております。決算短信の訂正のリリース等を出すことになりまして、この件につきましては大変申し訳なく感じております。

(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%

13

決算の概要についてご説明いたします。売上高は403億円で、前期に比べて72億円の増収でございます。営業利益は、前期は赤字の決算でしたが、今期は5億5,500万円の営業利益でございます。経常利益が11億円、当期純利益が21億円で、全体としましては増収増益の決算でございます。

(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
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%
エボエチンアルファ BS注「JCR」	1,690	1,121	△569	△33.7%
ダルベオエチンアルファ 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

14

先に次のページに移りまして、製品別の売上についてご説明したいと思います。

まず、グロウジェクトは179億円の売上でございます。前年度に比べますと若干のマイナスですが、薬価改定がございましたので、数量的には順調な売上であったと言えます。イズカーゴは67億6,600万円の売上、前期比プラス18%でございます。イズカーゴにつきましては、これまでの決算説明会でもご説明してきましたように、2025年度、期の早い時期に新規の症例獲得も進みまして、堅調な推移であったと思っております。テムセルは28億3,100万円の売上、前年同期比で7,300万円のマイナスでございました。この3品につきましては、いずれも堅調な推移を示しまして、公表計画を上回る結果となりました。

次に、腎性貧血治療薬です。合計で36億円の売上です。エポエチンアルファが11億円、ダルベポエチンアルファが25億円でございました。いずれも1月に公表しました修正の予想と、同じ結果となっています。

アガルシダーゼベータは、12億9,000万円の売上でございます。前期より1億4,000万円のプラスですが、一方、1月末に公表しました今期の修正予想に比べますと、約3億円のマイナスとなっております。こちらは3月に想定しておりました出荷が4月にずれ込みまして、その分2025年度につきましては予想に対してマイナスとなりました。

製品合計の売上が324億円で、プラス約8億円でございます。契約金収入は55億円で、前期に比べますと50億円のプラスでございました。その他23億円の売上、14億円のプラスでございます。売上高の合計は403億円で、先ほど申し上げましたように72億円の増収でございます。

(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	48.7%	41.6%	△5.1%
営業利益率	△18.8%	1.4%	+20.2%

13

1 ページ戻っていただきまして、P/L の概要についてご説明いたします。

売上原価は 101 億円でございます。右下の表で上から 2 番目、売上原価率(契約金除く)というところをご覧くださいと 27.6%の原価率で、前年よりは大きく低下しております。ただ、前年度は原材料等廃棄の影響を含んでおります。それを除いたベースで見ますと、ほぼ前年並みの仕上がりでございます。差し引きまして、売上総利益は 301 億 8,500 万円、80 億円のプラスでございます。

次に販管費でございます。そのうち研究開発費を除きました販売費及び一般管理費につきましては 128 億円で、前年に比べて若干のマイナスでございます。研究開発費は 167 億 6,100 万円で、前年より 13 億円のプラスでございます。こちらにつきましては、まず前年度には在庫の廃棄損を含んでいたこと、今年度については先ほど話がありました Givinostat 導入の一時金を含んでいます。

それらを差し引きまして、営業利益は 5 億 5,500 万円でございます。営業外収益が 14 億円、営業外費用が 8 億円でございます。営業外収益につきましては、為替差益が約 7 億円、有価証券売却益が 4 億 5,000 万円計上しております。営業外費用は 8 億 3,000 万円ですが、こちらは前年に比べまして 2 億円のマイナスです。持分法による投資損失あるいは為替差損が減少しています。その結果、経常利益は 11 億 6,500 万円でございます。

その下、特別利益を 20 億円計上しておりますが、過去に毎回説明をさせていただいておりました神戸サイエンスパークセンターの原薬工場の補助金が確定しました。それに伴いまして、特別利益

として補助金収入を計上しました。その結果、税前利益は 32 億円、当期純利益は 21 億 7,800 万円でございます。以上が、今年度の実績でございます。



財務状態 (連結)

Life is Rare

(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
			計 +4,588				計 +16,448
流動資産	51,487	56,076	・ 売掛金および契約資産 +1,927 ・ 棚卸資産 +1,813	流動負債	43,683	48,135	・ 短期借入金 +15,637
				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	計 △375 ・ 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
- ・ 短期借入金の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%

15

次に、バランスシートでございます。

全体では総資産 1,092 億円で、前年の 3 月末に比べまして約 43 億円増加しております。まず、流動資産のほうは、全体では 45 億円の増加でございます。売掛金が 19 億円、棚卸資産が 18 億円増加しております。棚卸資産の増加については下段に記載しておりますが、原材料および貯蔵品の増加でございます。

また、固定資産は 531 億円の残高で、前年比マイナス 2 億円でございます。右側の固定負債をご覧いただきますと、116 億円減少して 137 億円という残高になっております。こちらに圧縮未決算特別勘定がマイナス 117 億円と記載しておりますが、これとの見合いで固定資産に含まれておりました補助金の対象の有形固定資産の残高が減少しております。一方で、現在建設中の新製剤工場の建設仮勘定が 102 億円増加しておりまして、差し引き 2 億円のマイナスでございます。

右側の流動負債は 481 億円で、短期借入金が増加しております。今申し上げました新製剤工場の建設費の調達および運転資金の資金調達でございます。新製剤工場につきましては、短期の借入金で調達しまして、完成したときに補助金をいただきましたら、補助金の分を返済して、その他の分を長期借入金で借り入れするというのを考えております。

最後に純資産です。473 億円で前期比 3 億 7,500 万円のマイナスでございます。配当の支払いが 24 億円、純利益が 21 億 7,800 万円でございます。自己資本比率は 42.9%です。



【2027年3月期 予想】 連結決算概要

Life is Rare

連結	(単位：百万円)			
	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	増率
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%

16

次に、今年度の予想についてご説明いたします。

売上高は 457 億円、53 億円の増収を見込んでおります。営業利益は 11 億円で、約 6 億円のプラスを見込んでいます。一方、経常利益、当期純利益につきましては、前期比での減益を見込んでございます。営業利益は増益を見込んでおりますが、その他の利益は減益を想定しています。

(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%
ダルハポエチンアルファ 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

17

次のページを先にご説明いたします。製品別の売上でございます。

グロウジェクトは175億円の想定で、終わった期に比べまして2.4%のマイナスを想定しています。数量的には前期並みを見込んでおりますが、薬価改定の影響がございますので、売上高の減少を見込んでいます。イズカーゴは69億円の売上で、増収を見込んでおります。投与症例数の増加を見込んでおりました、継続して売上の増加が見込める製品でございます。テムセルは27億円で、若干の減を想定しております。

以下、腎性貧血治療薬あるいはアガルシダーゼ ベータにつきましては、いずれも販売先への供給計画に準じた売上高を見込んでおりますが、ほぼほぼ堅調な推移を想定しております。

また、契約金収入につきましては今期81億円で、前期に比べまして25億円の増収を見込んでおりますが、JR-141、JR-171の導出を想定しております。その他が45億円で、全体では457億円でございます。

(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%

16

1 ページ戻っていただいて、売上原価につきましては 106 億円で、原価率は右下表の 2 段目にありますように契約金を除いたベースで 26.7%で、0.9%好転すると見込んでおります。これはプロダクトミックスの影響です。

売上総利益が 351 億円、その下の販売費および一般管理費ですが、まず研究開発費を除いた販売費および一般管理費が 145 億円で、16 億円の増加を想定しております。こちらは支払手数料等の増加を想定しています。また、研究開発費は先ほど説明がありましたが、グローバルな開発、あるいは日本国内での開発の臨床試験を加速するために増加を見込んでおります。

営業利益はこの結果 11 億円で、経常利益 5 億円、当期純利益 2 億円で、前期に計上しました為替差益、あるいは助成金収入といったものの計上を今期は見込んでおりませんので、減益となる見込みでございます。

私からの説明は以上でございます。ありがとうございました。

司会：ご清聴ありがとうございました。

質疑応答

司会 [M]：それではこれより、質疑応答に移ります。最初にアナリストの皆様、その後にメディアの皆様からのご質問をお受けいたします。なお、ご質問は一问一答形式にて、お一人につき1回2問までとさせていただきますが、何回挙手をいただいても構いません。

それでは、質疑応答を開始いたします。まず初めに、村岡様、よろしく申し上げます。

村岡 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレーMUFG証券の村岡です。今期の予算のところですが、2問ですから絞ります。

契約金とその他収入のところですが、まず契約金ですが、先ほどJR-141とJR-171が入っているとおっしゃいました。金額が相当大きいので、多分メディパルさんの第4回目も入って、この三つが骨子だと推測します。お聞きしたいのは、計上できるタイミングです。クォーターは4回ありますが、この三つが分散して入ってくるのか、御社あるあるのパターンですが、第4クォーターまでじっと待たなければいけないことが今回も起きるのか、目処を教えてください。

伊藤 [A]：伊藤から回答いたします。まず、メディパルさんとの契約収入を見込んでいるのかということですが、今期は予算には入れてございません。それ以外については、今申し上げたJR-141、JR-171といった新しい導出あるいは既存の共同研究の進捗によるマイルストーンの受け取りを想定しております。

時期についてですが、今想定しておりますのは上期、下期にそれぞれバランスよく、それぞれいい報告ができるようなかたちになるのではないかと、そうしたいと考えております。以上でございます。

村岡 [Q]：ありがとうございました。例えばJR-171は結構時間かかりそうだよ、難航しそうだよというのが、この1、2年のメッセージだったと思います。それが急に動き始めている背景、およびJR-141についてはデナリが認可を取って、まだ売りが見えていない段階で、もう契約が見えそうなのか。外部環境がこれまでの経緯と若干ずれを感じますが、そこの辺りを埋めていただけると助かります。

伊藤 [A]：まずJR-171については、これまでずっといい報告ができなかったのですが、導出の活動は地道に続けてまいりまして、その成果が上がってきたということだと思います。JR-141につきましても、いろいろな環境の変化と申しますか、デナリの件もございしますが、そういったことも含めた上での契約についての話し合いを進めているところです。

村岡 [Q]：ありがとうございます。次に、その他収入で45億円、YoYで22億円増える予定です。こういったものなのかを教えてくださいと思います。普通に考えれば、本日薬価が7,000万円ついたアクーゴで何か大きなものが入るのですかということぐらいしか思いつかないのですが、どのように考えるべきか、少しヒントをください。

伊藤 [A]：今の件ですが、まずアクーゴにつきましては、まだ試製造段階の契約でございます。そこから契約については変わっておりませんので、今回の想定にはアクーゴ関係の売上は入っておりません。その他の増加は何なんだということですが、NPSです。日本で承認を取りましたイズカーゴが、海外でドクターの要請によって使用されるケースがございます。それでの売上増加を想定をしています。

村岡 [M]：わかりました。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。続いてのご質問を、山口様、お願いいたします。

山口 [Q]：シティの山口です。質問がどうしても被ってしまうので、お許しください。契約金のところで、御社は過去にスタンスが変わった時期があったと思います。最近では、かなり堅めになっておられたと思います。現在の財務体制になってから。そのスタンスが変わらない中でいろいろ進んだので、今回入れることになったという理解でよろしいでしょうか。またスタンスが変わったのかとも思ったり、今の話だとかなり話が進んでいると思ったりするのですが、その辺はいかがでしょうか。

伊藤 [A]：伊藤からご回答いたします。契約金収入の計上の仕方につきましては毎々ご質問いただくところですが、こここのところのスタンスは、前年度あるいはその前のスタンスと変わっているところはございません。その上で、今回こういった数字をお示ししてございます。

山口 [Q]：ありがとうございます。JR-141の中間解析は、まだでしたか。その確認をお願いします。グローバル試験です。

ベシェ [A]*：今、規制当局とディスカッションを続けています。われわれのパッケージの適正性についてです。ディスカッションは継続中ですので、機密性、戦略性の面から、タイミングについてはここで述べることはできません。

司会 [M]：ありがとうございました。続いてのご質問を、橋口様、お願いいたします。

橋口 [Q]：橋口です。よろしくお願いします。契約金収入は、上期が JR-171、下期が JR-141 と推測しています。JR-141 については、Phase3 試験のデータが出た後なのか、もしくはそのデータを踏まえて FDA とのやり取りをした後なのか、どちらでしょうか。

伊藤 [A]：今ご質問いただきました件には、お答えできません。それについては、ノーコメントとさせていただきます。

橋口 [Q]：今期の研究開発活動のアクティビティの結果を踏まえて、締結が見込まれるという理解で差し支えないでしょうか。

伊藤 [A]：お答えするのは難しい面もございますが、すでに計上させていただいているということは、先ほどのご質問にありましたように、それなりに確度がある想定で数字を置いております。そういった意味では、すでにあるものを評価させていただいているのが大きな部分だとお考えいただいたほうがよろしいかと思えます。

橋口 [Q]：よくわかりました。ありがとうございます。2 点目が、アクーゴの製造の話です。今回の薬価算定において、ピーク時 10 年目で 39 人が一応の想定になっています。39 人に使用が留まると、御社はまだ必要とされない。さらにその先の市場拡大なり、市場拡大が見込まれるような状況になって供給を担うような場面が出てくるという理解でよろしいのでしょうか。

伊藤 [A]：アクーゴの件につきましては、先ほども申し上げましたが、あくまでも試製造という契約段階でございます。将来どのような想定をしているかについては、まだお話するのは時期早尚と思えます。

橋口 [M]：ありがとうございました。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。続いて、前田様、お願いいたします。

前田 [Q]：お世話になっております。まずお聞きしたいのが、販管費のところですが、前期に比べてかなり増えるご計画になっていると思えます。この内訳についても、すでに資料の中でご説明はいただいておりますが、より具体的に教えていただくことは可能でしょうか。特に研究開発のところですが、こういった要因で増えているのかお聞きしたいです。

伊藤 [A]：研究開発費以外のところにつきまして、まず私からお話したいと思えます。こちらを増加を計画していますが、これについては手数料等々と申し上げましたが、販売手数料あるいは JR-141 がこれからマーケットに出ていきますので、そういった調査等々を考えています。また手数料ということではないのですが、原薬製造の複線化といいますか、二つ以上の工場で作れるように

したいということがもともとございまして、そういったことでの費用です。それについても、計上予定をしております。

前田 [Q]：ありがとうございます。今おっしゃったのは、原薬の在庫積み上げみたいなのところも含めて、この研究開発の計画に入っているという理解でよろしいですか。

伊藤 [A]：すみません、私が申し上げましたのは研究開発以外のところの費用でございます。今申し上げた原薬の製造を複線化したいということは、今期はまだ準備段階です。それによって在庫が積み上がる計画ではございません。

研究開発費のところにつきましては、アンから説明をいたします。

ベシエ [A]*：これまでに比べて、JR-141 の試験のリクルートメントを完了したので、患者数が蓄積しています。試験のロジスティックや患者さんのフィーだったり、メンテナンスの費用が最大レベルに達しています。そのためにコストが、R&D に関しては増えていることになります。今後、この他のアセットでも拡充拡大を進めてまいりますので、これらが追加の費用につながります。メディパルとのアセットもあります。IND を申請しましたグローバル試験を、今年中に始めたいと考えています。これも追加の投資を必要とします。

また、JR-471、JR-479 の追加の活動も含まれています。ポートフォリオがこのように拡充していきますので、追加の投資が必要になります。研究を続けるために必要なコストと考えております。以上です。

前田 [Q]：ありがとうございます。2 点目ですが、DNL310 のラベルに記載のあった体重の規定について、御社としてどのようにお考えなのか、簡単にコメントいただけますと幸いです。デナリの承認された製品です。

ベシエ [A]*：デナリの承認について、コメントをさせてください。これは本当に患者さんにとって素晴らしいニュースだと思っています。この希少疾患にとっても朗報だと思っています。

これまでもたくさんの混乱がありました。さまざまなレア・ディジーズの申請が拒否されることが何件もありました。デナリに関しては、すごくいいシグナルになると思っています。われわれの観点、市場の利益を考えると、これは素晴らしいことだと思います。規制当局との対話は順調に進んでおります。体重に関しては限定するようなものはないと考えていますが、いかがでしょうか。

前田 [M]：承知いたしました。後ほどお聞きするかもしれませんが、よろしく願いいたします。一旦失礼いたします。

司会 [M]：ありがとうございました。続いて、川村様、お願いいたします。

川村 [Q]：ご説明ありがとうございました。SBI証券の川村です。私もしつこくて恐縮ですが、契約金収入について教えてください。今期が81億円のご計画で、JR-141がPhase3途中と考えると、81億円のある程度の部分がJR-141と見てもよろしいのでしょうか。これが1問目です。

伊藤 [A]：伊藤からお答えします。金額については、どの程度かということもお答えしづらいですので、それについてはコメントを差し控えさせていただきます。

川村 [Q]：わかりました。2問目です。競合のデナリが承認を取りましたが、このインディケーションを考えると、やはり一番手が有利だと思ってしまう。それを踏まえて、JR-141の交渉状況や引き合い、競合の承認前後でどのように変わったのか、コメントができることがあればご紹介ください。以上です。

藺田 [A]：ご質問ありがとうございます。今おっしゃるとおり、デナリが早期承認を米国で取ったということで、状況が変わったのは間違いありません。ただ、その前からいろいろとお話をしていの中で、そういったことは十分予想ができたというか、想定をした中でのいろいろな交渉を進めてきました。何も知らないところから急にこの話が出てきて承認というものではありません。それを見越した上で、話を継続しているとご理解をしていただければと思います。

川村 [M]：わかりました。以上です。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続きまして、山木田様、お願いいたします。

山木田 [Q]：ジェフリーズ証券の山木田でございます。ご説明ありがとうございました。私から1問目です。デナリの承認を受けて、今の川村さんとの質問とも被るのですが、今回はバイオマーカーを根拠にした承認だったと思います。御社にとって、これは交渉にポジティブに働いていることはあるのでしょうか。バイオマーカーの承認が認められたことが前例として出てきたのは、ポジティブに働いたことはあるのでしょうか。もちろん御社もバイオマーカーのデータを取っていると思うので開発についてはポジティブだと思いますが、交渉でもポジティブに働いていますか。

藺田 [A]：これはイエス&ノーだという答えになります。交渉相手もそうですが、規制当局が何を期待しているのか、何をもちて承認をしようとしているのか、それが見えなかった中でデナリが承認されたことは、バイオマーカーに一定の説得力があると、バイオマーカーで承認する準備がFDAにあることが示されたわけです。

これまでは、FDAはきちりとしたデータを持ってこないバイオマーカーでは基本的には承認をしなかったわけですから、そこが変わったことになります。そういった意味では、交渉をしている先も新たな情報が出てきたというか、新たな局面に入ったということで、プラスに感じるところ

はあります。ただ一方で、バイオマーカーが使えるということでデナリが先に迅速承認を取ったのも事実ですので、イエス&ノーだという答えになるかと思います。

山木田 [Q]：よくわかりました。ありがとうございます。2点目です。JUST-AAVの引き合いについてです。昨年、米国でサレプタが遺伝子治療で、肝毒性のところ死亡例が出たものがありました。それを受けて、御社のJUST-AAVが肝臓への局在を避けるような技術の引き合いが増えそうな気がしています。現状、そういった引き合いは増えているのかどうか、変化があれば教えてください。

藺田 [A]：藺田がお答えします。引き合いという意味では、非常に増えていますし、今言っていたように、脳に届ける部分と肝臓に届けない部分は別々の技術開発をして、それをコンバインすることでJUST-AAV技術を完成させています。言い方を変えると、肝臓にいかない技術だけでもライセンスができます。そこに興味があるところは、そこだけ使うこともできることになります。

この辺のことを理解して非常に興味を持っていただいて、それでフィージビリティスタディをやるうといった話が複数進んでいるのが事実になります。

山木田 [M]：よくわかりました。私からは以上です。ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。続きまして、村岡様、お願いいたします。

村岡 [Q]：ありがとうございます。2回目、助かります。P/Lの今期のガイダンスの作り方ですが、営業利益が11億円で、経常利益が5億円しかないです。この段階で為替差損を見込むわけでもないですし、こんなに営業利益と経常利益の差が出る前提になっているのか、腹落ちが悪いので教えていただけますでしょうか。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。伊藤からお答えいたします。営業外費用に何があるのかというご質問ですが、まず一つは持分法投資損失です。これは前期も計上しておりますが、今期も想定しています。もう一つは支払利息です。この二つが主なものでございます。

村岡 [Q]：わかりました。ありがとうございます。

次に同じく、P/Lの販管費が16億円増える話です。支払手数料というご説明ですが、パートナー品の今期の売上の伸びの前提がそんなに伸びるように見えないし、アガルシダーゼは期ずれだし、品目ごとの売上の伸びと販管費の伸びに気持ち悪い感じがありますが、そこをもう少し解説いただけますでしょうか。

伊藤 [A]：わかりました。伊藤でございます。この中には販売手数料ももちろん含まれていますし、先ほども申し上げましたが JR-141 の上市が近づいてきていることで、それに関してマーケット関係あるいは薬価関係の調査等々も含まれております。

先ほどの繰り返しになりますが、これは手数料ではないのですが、製造の複線化で原薬を 2 カ所で生産できるようにしたいということで、このための費用もここに計上されていることが増加の要因でございます。

村岡 [Q]：わかりました。支払手数料の増加は、プラス 16 億円の中の、そんなに大きくないウェートでいいですか。

伊藤 [A]：そういうご理解で結構です。

村岡 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。続きまして、石田様、よろしく申し上げます。

石田 [Q]：お世話になっております。みずほ証券の石田です。私から 2 点お願いいたします。

DMD の Givinostat ですが、まず確認で、国内試験に関して、PMDA とも議論を実施したのか。国内開発の計画が出てくるのはいつ頃か、お示しいただけるものがありましたら教えていただきたいです。まず 1 点目です。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。DMD の治療薬の Givinostat の件ですが、PMDA とのディスカッションに関してはすでに始まっておりまして、現在もオンゴーイングでディスカッションをしているのが一つ目の答えになります。臨床試験の実施に関しては、計画が固まり次第、試験概略の情報を公開することになります。まだ臨床試験の状況は固まっていない状態ですので、まだ公開はされていない状況です。

石田 [Q]：いつ頃とか、タイムラインの目安はございますか。

谷澤 [A]：今回の Givinostat の承認目標が 2028 年までということでタイムラインを引いておりますので、臨床試験の情報についても速やかに公開することが必要という状況になっております。

石田 [Q]：わかりました。ありがとうございます。2 点目です。中長期の話になりますが、将来の姿で売上高目標 1,000 億円を出していただいていると思います。この前提に関して、少しヒントをいただきたいです。Givinostat みたいに追加のライセンスインによる製品などを加味して、この 1,000 億円を出されているのか。あと Givinostat に関して、メディアの記事で年間 350 億円程度を

狙っていますみたいな記事を見た記憶がありますが、それも入っているのか。将来の売上の姿に関して、詳細をいただければと思います。

伊藤 [A]：伊藤からお答えいたします。今お話いただきました中で、Givinostat はある前提を置いて 350 億円とお話したことがございます。そういった想定での売上は、ここに含まれております。国内売上には導入品を含むということでございます。その他については、海外への導出からのライセンス収入やロイヤリティ関係といったものも含まれている想定でございます。

石田 [Q]：追加で、Givinostat のようなライセンスインの製品なども含まれていますか。

伊藤 [A]：一部検討しているものもございますが、それについては今からの話ですので、そんなに大きな金額ではございません。

石田 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。続きまして、前田様、よろしくお願いいたします。

前田 [Q]：ありがとうございます。契約金のところで、1 問だけです。大きなもの、JR-141、JR-171 の導出を想定しているということで、その他の部分はあまり重要ではないということですが、簡単にアレクシオンやアキュメンのご想定を入れていらっしゃるのかどうか、ここを教えていただけますと幸いです。

伊藤 [A]：アレクシオンについてはお答えできませんが、アキュメンについてはご案内のとおり、彼らもいい結果を概要ですが、公表しております。われわれとしても、オプションを行使されるものと期待して、ここに織り込んでございます。アレクシオンについても今期に期待しているところでございます。

前田 [M]：承知いたしました。私からは以上です。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。メディアの皆様も含めまして、ご質問はございますか。それでは、大島様、よろしくお願いいたします。

大島 [Q]：神戸新聞の大島と申します。2 点お伺いします。一つ目が、今日も多くの質問を受けました契約金収入についてお伺いしたいのですが、大変初歩的なことで恐縮ですが、これは終わった期の契約金収入が 50 億円であったり、今期の予想の 81 億円ですが、いわゆる基盤技術や新薬を他社に供与する際の契約金という理解でよろしかったでしょうか。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。そういうご理解で結構です。技術の導出に関する契約時にわれわれが受け取るもの、あるいは製品、あるいは製品になる候補品を海外に導出をしたときに

受け取る金額です。あるいはプラスして、既存の契約で、ある一定の、マイルストーンと言っておりますが、条件を満たしたらお金をいただける契約をしているのが一般的でございます。そういった研究等の進捗に併せて、受け取るケースもございます。

大島[Q]：もう1点、全然違うテーマで伺えたらと思っております。今期の予想で、特に今日言及はなかったのですが、中東情勢の緊迫化が業績に与える影響はどのように見ていらっしゃるのか、織り込んでおられることがあれば、併せてお伺いできたらと思います。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。それにつきましては、いろいろと心配しなければいけないこともあるかと思いますが、現状では特に何か大きな影響が出そうだというのもございませんので、今のところはこの予算には織り込んでおりません。

大島 [Q]：わかりました。石油化学製品の価格高騰や各種の調達難、供給難の状況を見ていますが、それに関して御社は懸念されているところは特にないという理解でよかったですか。

伊藤 [A]：現在、足元で何か大きな懸念事項になるところはありませんが、例えばわれわれが製造に使っております大きなプラスチックのバッグといったものもございます。そういったものが、これからコストがどうなるかについては、注視していかなければいけないと考えております。

大島[M]：かしこまりました。ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。続きまして、早瀬様、お願いいたします。

早瀬[Q]：ミクスの早瀬と申します。ありがとうございます。菌田社長にお伺いしたいのですが、Givinostat の導入や JUST-AAV といった新技術の展開など、次の成長に向けた取り組みについても伺いました。今回、新体制で初めての決算発表となりますが、改めて2025年度の業績と現状をどのように評価されているでしょうか。また2026年度、改めてどのような期待を持っていらっしゃるのかも踏まえてお伺いできたらと思います。よろしくお願いいたします。

菌田 [A]：ご質問ありがとうございます。われわれはここ数年、さらにここから数年、非常に厳しい状況に置かれているのは間違いありません。これはグローバルの臨床開発が進んでいること、先ほどアン・ベシェからもありましたが、JR-141 にプラスして他の品目でもそういったフェーズが上がっていていること、それによってコストがかさんでいるのは間違いありません。

ここをどうにか乗り切って、次のフェーズに早く行きたい。乗り切るためにも、非常にいろいろなポイントがあります。スペシフィックにこれだというのはなかなか難しいですが、申請・承認に向けて、治験を実施しながら準備も進めていくことが必要になってきます。これらをきっちりやり遂げていくことが、今年度、来年度とても重要になりますし、JCRにとってグローバルで開発をして

承認を取るのは初めてのことになりますので、そこに抜かりがないように進めていきたいと思っています。

後ろにいろいろな新薬のシーズがたくさん待っているわけですが、一つでも先に進めるためには、今お話しした苦しい時期を乗り切って、一つでも多くの製品を上市に結びつけて、上市で得たお金で次の投資にまた結びつけていくと、冒頭でも述べましたが、このいいサイクルをつくり出していけるかというのが、今後数年のわれわれに課された課題だと思っています。

早瀬[M]：ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは恐れ入りますが、時間の都合上、以上で質疑応答を終了とさせていただきます。以上をもちまして、JCRファーマ株式会社 2026年3月期決算説明会を終了いたします。皆様、本日はご参加いただきまして、誠にありがとうございました。

[了]

脚注

1. 音声不明瞭な箇所については[音声不明瞭]と記載
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す
3. 本トランスクリプトは企業の同時通訳音源を書き起こした内容を含む
4. *は企業の同時通訳の書き起こしを示す

免責事項

本資料で提供されるコンテンツの信憑性、正確性、完全性、最新性、網羅性、適時性等について、株式会社JPX 総研（以下、「当社」という）は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。

本資料または当社及びデータソース先の商標、商号は、当社との個別の書面契約なしでは、いかなる投資商品（価格、リターン、パフォーマンスが、本サービスに基づいている、または連動している投資商品、例えば金融派生商品、仕組商品、投資信託、投資資産等）の情報配信・取引・販売促進・広告宣伝に関連して使用してはなりません。

本資料を通じて利用者に提供された情報は、投資に関するアドバイスまたは証券売買の勧誘を目的としておりません。本資料を利用した利用者による一切の行為は、すべて利用者の責任で行っていただきます。かかる利用及び行為の結果についても、利用者が責任を負うものとします。

本資料に関連して利用者が被った損害、損失、費用、並びに、本資料の提供の中断、停止、利用不能、変更及び当社による利用者の情報の削除、利用者の登録の取消し等に関連して利用者が被った損害、損失、費用につき、当社及びデータソース先は賠償又は補償する責任を一切負わないものとします。なお、本項における「損害、損失、費用」には、直接的損害及び通常損害のみならず、逸失利益、事業機会の喪失、データの喪失、事業の中断、その他間接的、特別的、派生的若しくは付随的損害の全てを意味します。

本資料に含まれる全ての著作権等の知的財産権は、特に明示された場合を除いて、当社に帰属します。また、本資料において特に明示された場合を除いて、事前の同意なく、これら著作物等の全部又は一部について、複製、送信、表示、実施、配布（有料・無料を問いません）、ライセンスの付与、変更、事後の使用を目的としての保存、その他の使用をすることはできません。

本資料のコンテンツは、当社によって編集されている可能性があります。