



2027年3月期 第2四半期（中間期）決算短信〔日本基準〕（連結）

2026年10月29日

上場会社名 J C Rファーマ株式会社 上場取引所 東
コード番号 4552 URL <https://www.jcrpharm.co.jp/>
代表者 （役職名）代表取締役社長 （氏名） 藺田 啓之
問合せ先責任者 （役職名）常務執行役員経営戦略本部長 （氏名） 伊藤 洋 TEL 0797(32)1995
半期報告書提出予定日 2026年11月13日 配当支払開始予定日 2026年12月4日
決算補足説明資料作成の有無：有
決算説明会開催の有無：有（機関投資家・アナリスト向け）

（百万円未満切捨て）

1. 2027年3月期第2四半期（中間期）の連結業績（2026年4月1日～2026年9月30日）

（1）連結経営成績（累計）

（％表示は、対前年中間期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属する 中間純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2027年3月期中間期	19,974	△6.5	△3,504	—	△3,798	—	△3,867	—
2026年3月期中間期	21,362	28.2	2,429	—	2,413	—	1,746	—

（注）包括利益 2027年3月期中間期 △4,859百万円（－％） 2026年3月期中間期 2,263百万円（26.5％）

	1株当たり 中間純利益	潜在株式調整後 1株当たり 中間純利益
	円 銭	円 銭
2027年3月期中間期	△31.67	—
2026年3月期中間期	14.32	14.31

（注）2027年3月期中間期の「潜在株式調整後1株当たり中間純利益」については、潜在株式は存在するものの1株当たり中間純損失であるため記載しておりません。

（2）連結財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2027年3月期中間期	113,876	41,389	35.9
2026年3月期	109,236	47,359	42.9

（参考）自己資本 2027年3月期中間期 40,921百万円 2026年3月期 46,868百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2026年3月期	—	10.00	—	10.00	20.00
2027年3月期	—	10.00	—	—	—
2027年3月期（予想）	—	—	—	10.00	20.00

（注）直近に公表されている配当予想からの修正の有無：無

3. 2027年3月期の連結業績予想（2026年4月1日～2027年3月31日）

（％表示は、対前期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		親会社株主に帰属 する当期純利益		1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	45,700	13.3	1,100	98.2	500	△57.1	200	△90.8	1.64

（注）直近に公表されている業績予想からの修正の有無：無

※ 注記事項

(1) 当中間期における連結範囲の重要な変更：無

新規 ー社 (社名) ー、除外 ー社 (社名) ー

(2) 中間連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用：無

(3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 無

② ①以外の会計方針の変更 : 無

③ 会計上の見積りの変更 : 無

④ 修正再表示 : 無

(4) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む）	2027年3月期中間期	129,686,308株	2026年3月期	129,686,308株
② 期末自己株式数	2027年3月期中間期	7,434,678株	2026年3月期	7,693,402株
③ 期中平均株式数（中間期）	2027年3月期中間期	122,117,184株	2026年3月期中間期	121,901,549株

※ 第2四半期（中間期）決算短信は公認会計士又は監査法人のレビューの対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

（将来に関する記述等についてのご注意）

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料5ページ「1. 経営成績等の概況 (3) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 経営成績等の概況	2
(1) 当中間期の経営成績の概況	2
(2) 当中間期の財政状態の概況	4
(3) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明	5
2. 中間連結財務諸表及び主な注記	6
(1) 中間連結貸借対照表	6
(2) 中間連結損益計算書及び中間連結包括利益計算書	8
中間連結損益計算書	8
中間連結包括利益計算書	9
(3) 中間連結キャッシュ・フロー計算書	10
(4) 中間連結財務諸表に関する注記事項	11
(セグメント情報等の注記)	11
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	11
(継続企業の前提に関する注記)	11
(重要な後発事象の注記)	11
3. その他	12
研究開発項目	12

1. 経営成績等の概況

(1) 当中間期の経営成績の概況

①当期の経営成績

売上高は199億74百万円(前年同期比6.5%減)となりました。

ムコ多糖症Ⅱ型治療剤「イズカーゴ点滴静注用10mg」は好調に推移しました。一方で、契約金収入が減少したことおよびヒト成長ホルモン製剤「グロウジェクト®」が減収となったことなどにより、売上高は前年同期に比べて13億88百万円の減収となりました。

また、積極的な研究開発活動の結果、グローバルな臨床開発の進展により研究開発費は30.6%増加し102億30百万円(前年同期比23億95百万円増)となりました。

これらの結果、営業損失35億4百万円(前年同期は営業利益24億29百万円)、経常損失37億98百万円(前年同期は経常利益24億13百万円)、親会社株主に帰属する中間純損失38億67百万円(前年同期は親会社株主に帰属する中間純利益17億46百万円)を計上しております。

	前中間連結会計期間 (自 2025年4月1日 至 2025年9月30日)	当中間連結会計期間 (自 2026年4月1日 至 2026年9月30日)	増減
	金額(百万円)	金額(百万円)	%
売上高	21,362	19,974	△6.5
営業利益又は営業損失(△)	2,429	△3,504	—
経常利益又は経常損失(△)	2,413	△3,798	—
親会社株主に帰属する中間純利益又は 親会社株主に帰属する中間純損失(△)	1,746	△3,867	—

②主な売上

	前中間連結会計期間 (自 2025年4月1日 至 2025年9月30日)	当中間連結会計期間 (自 2026年4月1日 至 2026年9月30日)	増減
	金額(百万円)	金額(百万円)	%
ヒト成長ホルモン製剤 グロウジェクト®	8,915	7,888	△11.5
ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 イズカーゴ点滴静注用	3,354	3,634	8.4
腎性貧血治療薬 エポエチンアルファBS注「JCR」	1,580 296	1,697 460	7.4 55.6
ダルベポエチンアルファBS注「JCR」	1,283	1,236	△3.7
再生医療等製品 テムセル®HS注	1,582	1,323	△16.4
ファブリー病治療薬 アガルシダーゼベータBS点滴静注「JCR」	426	958	125.1
製品計	15,858	15,503	△2.2
契約金収入	5,015	1,474	△70.6

③研究開発の状況

[ライソゾーム病治療薬]

- ・当社では現在、17種類を超えるライソゾーム病治療薬について、独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」を適用した新薬の研究開発に重点的に取り組んでおります。
- ・血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤パビナフスプ アルファ（開発番号：JR-141）については、現在、グローバル臨床第3相試験を実施しております。試験の進捗は順調であり、目標症例数の組入れを達成いたしました。また、新薬承認申請の戦略について協議をするため、2025年6月に米国食品医薬品局（FDA）とミーティングを行い、その後も継続して規制当局との協議を行っております。海外でのパートナーリングに関しては、2026年10月にItalfarmaco社と米国・欧州・中南米における開発および商業化に関する独占的ライセンス契約を締結いたしました。また、中東・北アフリカ地域においてはTaiba社と販売委託契約を締結しており、日本における本剤の製造販売承認を活用して2026年7月にアラブ首長国連邦で製造販売承認を取得し、同年10月にクウェート国で条件付き承認を取得いたしました。
- ・血液脳関門通過型ムコ多糖症Ⅰ型治療酵素製剤lepunafusp alfa（開発番号：JR-171）については、日本・ブラジル・米国での13週間の臨床第1/2相試験およびその継続試験を完了いたしました。当該品目については、自社開発ではなくライセンスアウトにより開発を進める方針であり、パートナー候補との導出交渉を進めております。
- ・血液脳関門通過型ムコ多糖症ⅢA型治療酵素製剤posnafusp alfa（開発番号：JR-441）については、ドイツにて臨床第1/2相試験が進行中であり、予定していた症例登録を完了いたしました。日本で実施中の臨床第1相試験についても、目標症例数の登録を完了し、試験は順調に進捗しております。なお、2022年1月に欧州委員会（EC）より、2023年12月にFDAより、そして2024年12月に厚生労働省より、オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）の指定を受けております。
- ・血液脳関門通過型ムコ多糖症ⅢB型治療酵素製剤（開発番号：JR-446）については、2023年9月に株式会社メディパルホールディングスと、海外における事業化についての実施許諾契約および日本における共同開発・商業化契約を締結いたしました。2024年12月に日本国内において臨床第1/2相試験での治験薬投与が開始され、2026年9月にはグローバル臨床第1/2相試験での治験薬投与が開始されました。また、2025年4月にはFDAより、2025年6月にはECより、そして2025年9月に厚生労働省より、オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）の指定を受けております。
- ・J-Brain Cargo[®]を適用したその他の開発品目であるフコシドーシス治療薬候補（開発番号：JR-471）については、2022年10月に締結した実施許諾契約に基づき、株式会社メディパルホールディングスに対し、日本を除く全世界における研究・開発、製造および販売などの事業化に関する再実施許諾権付の独占的実施権を許諾いたしました。現在、当該疾患の自然歴データを収集する目的で臨床研究が行われております。さらに2025年8月には、同社との間で、GM2 ガングリオシドーシスに対する治療薬候補（開発番号：JR-479）の海外における事業化についての実施許諾契約および日本における共同開発・商業化契約を締結いたしました。

[ヒト成長ホルモン製剤]

- ・長時間作用型遺伝子組換えヒト成長ホルモン製剤redalsomatropin alfa（開発番号：JR-142）については、小児成長ホルモン分泌不全性低身長を対象疾患として日本国内において臨床第3相試験を実施中であり、患者登録を完了いたしました。なお、臨床第2相試験の継続試験は引き続き実施中であります。
- ・販売中の製品「グロウジェクト[®]」について、小児成長ホルモン分泌不全性低身長症患者を対象とした臨床第3相用量比較試験を日本国内において開始いたしました（開発番号：JR-401G）。これは、同疾患に対する日本と海外との用法用量のギャップを埋めることで、日本における成長ホルモン治療後の最終身長のさらなる改善や生活の質向上を期待するものであります。

[デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬]

- ・当社は2025年12月にデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬givinostat（欧米での販売名：Duvyzat[®]）の日本における開発および商業化についての独占的ライセンス権をItalfarmaco社から取得いたしました。海外で実施された臨床試験成績を主要な根拠として、2026年内に日本における本薬の製造販売承認申請を行う予定であります。なお、2026年9月に厚生労働省より希少疾病用医薬品および優先審査の対象に指定されました。

[基盤技術の創出]

J-Brain Cargo[®]

- ・JCR独自の血液脳関門通過技術「J-Brain Cargo[®]」について、様々なモダリティへの応用可能性を広げる研究を進めるほか、技術の導出に注力しております。2025年7月、血液脳関門通過型アルツハイマー病治療薬の開発を目指して、Acumen Pharmaceuticals社へのJ-Brain Cargo[®]技術導出に関するライセンスのオプション契約を締結し、同社は2026年6月にオプション権を行使いたしました。

JUST-AAV

- ・J-Brain Cargo[®]技術に続く新たな基盤技術の創出に注力しており、その成果のひとつとして、アデノ随伴ウイルスベクターを用いた新しい遺伝子治療技術「JUST-AAV」を創出いたしました。特定の組織へと効率的にベクターを送達できるだけでなく、肝臓へのベクターの集積を低減することで副作用の軽減も期待され、新たなプラットフォーム技術として開発を進めております。この技術に関連して、2023年12月より株式会社モダリスと本技術を用いた新規遺伝子治療の開発に向けた共同研究を開始し、2025年1月に本共同研究において初期の技術コンセプトの検証を達成したため、新たな共同研究契約を締結いたしました。また、2025年7月に新規遺伝子治療用製品の開発を目的として、アレクシオン・アストラゼネカ・レアディージェズ社にJUST-AAV技術を導出するライセンス契約を締結いたしました。

[その他]

- ・2025年12月に、Italfarmaco社と希少疾病治療薬についての戦略的提携についての契約を締結いたしました。これにより、両社のポートフォリオの拡充を目指すとともに、当社の研究開発パイプラインおよび基盤技術における共同の機会を探求いたします。
- ・バイオ医薬品の研究開発および基盤技術の創出を促進するため、神戸医療産業都市のクリエイティブラボ神戸内に新たな研究拠点「先進バイオ医薬研究所」を設置いたしました(2026年4月1日付で稼働)。

(2) 当中間期の財政状態の概況

① 資産、負債及び純資産の状況

当中間連結会計期間末における資産合計は1,138億76百万円(前連結会計年度末比46億40百万円増)、負債合計は724億87百万円(前連結会計年度末比106億10百万円増)、純資産合計は413億89百万円(前連結会計年度末比59億69百万円減)となりました。

流動資産は、売掛金及び契約資産ならびに棚卸資産が増加した一方で、現金及び預金が減少したことなどにより、前連結会計年度末に比べ14億8百万円減少して546億67百万円となりました。固定資産については、建設仮勘定が増加したことなどにより、前連結会計年度末に比べ60億49百万円増加して592億9百万円となりました。

流動負債は、短期借入金が増加したことなどにより、前連結会計年度末に比べ109億45百万円増加して590億80百万円となりました。固定負債は、長期借入金が増加したことなどにより、前連結会計年度末に比べ3億35百万円減少して134億6百万円となりました。

純資産については、親会社株主に帰属する中間純損失の計上および配当金の支払があったことなどにより、前連結会計年度末に比べ59億69百万円減少して413億89百万円となりました。

これらの結果、当中間連結会計期間末における自己資本比率は、前連結会計年度末に比べ7.0ポイント低下して35.9%となりました。

グローバルで持続的な成長を行うため、当社グループは機動的かつ安定的に資金調達手段を確保する必要があり、各金融機関との間で、バックアップラインとして運転資金を確保する事を目的として、総額495億円のコミットメントライン契約を締結しております。

なお、このうち265億円については、新製剤工場の建設に関する資金調達のために締結したものであります。この新製剤工場の建設は、経済産業省「ワクチン生産体制強化のためのバイオ医薬品製造拠点等整備事業」に採択されており、同事業における補助金を用いて当該建設を行います。当コミットメントライン契約につきましても、補助金受領までの必要資金に充当することを目的としたものであります。

② キャッシュ・フローの状況

当中間連結会計期間における現金及び現金同等物は、前連結会計年度末に比べ35億71百万円減少して104億35百万円となりました。各キャッシュ・フローの状況および主な要因は次のとおりであります。

(営業活動によるキャッシュ・フロー)

営業活動に使用した資金は、38億4百万円となりました。これは主に、税金等調整前中間純損失38億8百万円が計上されたことなどによるものであります。

(投資活動によるキャッシュ・フロー)

投資活動に使用した資金は、82億67百万円となりました。これは主に、有形固定資産の取得77億99百万円などによるものであります。

(財務活動によるキャッシュ・フロー)

財務活動で得られた資金は、85億24百万円となりました。これは主に、配当金の支払12億20百万円があった一方で、短期借入金が105億14百万円純増したことなどによるものであります。

(3) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

当中間連結会計期間の連結経営成績は前年同期比で減収減益となりました。

2027年3月期の業績予想に関しましては、2026年5月13日に公表いたしました通期の業績予想に変更はありません。

2. 中間連結財務諸表及び主な注記

(1) 中間連結貸借対照表

(単位：百万円)

	前連結会計年度 (2026年3月31日)	当中間連結会計期間 (2026年9月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	14,007	10,435
売掛金及び契約資産	14,163	15,042
商品及び製品	2,117	4,340
仕掛品	6,908	5,970
原材料及び貯蔵品	15,016	14,674
その他	3,864	4,205
貸倒引当金	△1	△1
流動資産合計	56,076	54,667
固定資産		
有形固定資産		
建物及び構築物(純額)	6,598	7,768
土地	11,029	11,029
建設仮勘定	19,411	24,753
その他(純額)	2,204	2,548
有形固定資産合計	39,244	46,099
無形固定資産		
特許権	1,604	1,466
その他	992	839
無形固定資産合計	2,596	2,305
投資その他の資産		
投資有価証券	7,833	6,577
その他	3,489	4,231
貸倒引当金	△4	△4
投資その他の資産合計	11,318	10,804
固定資産合計	53,160	59,209
資産合計	109,236	113,876
負債の部		
流動負債		
買掛金	523	1,092
短期借入金	41,692	51,806
賞与引当金	1,136	1,466
役員賞与引当金	125	65
その他	4,658	4,650
流動負債合計	48,135	59,080
固定負債		
長期借入金	12,200	11,850
従業員株式給付引当金	129	116
退職給付に係る負債	914	962
圧縮未決算特別勘定	245	245
その他	252	232
固定負債合計	13,741	13,406
負債合計	61,877	72,487

(単位：百万円)

	前連結会計年度 (2026年 3 月 31 日)	当中間連結会計期間 (2026年 9 月 30 日)
純資産の部		
株主資本		
資本金	9,061	9,061
資本剰余金	10,378	10,347
利益剰余金	31,226	26,136
自己株式	△4,969	△4,799
株主資本合計	45,697	40,745
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	438	△593
繰延ヘッジ損益	△2	3
為替換算調整勘定	533	590
退職給付に係る調整累計額	200	175
その他の包括利益累計額合計	1,170	175
新株予約権	72	46
非支配株主持分	417	420
純資産合計	47,359	41,389
負債純資産合計	109,236	113,876

(2) 中間連結損益計算書及び中間連結包括利益計算書
(中間連結損益計算書)

(単位: 百万円)

	前中間連結会計期間 (自 2025年4月1日 至 2025年9月30日)	当中間連結会計期間 (自 2026年4月1日 至 2026年9月30日)
売上高	21,362	19,974
売上原価	4,273	5,752
売上総利益	17,089	14,221
販売費及び一般管理費	14,659	17,726
営業利益又は営業損失(△)	2,429	△3,504
営業外収益		
受取利息	38	30
受取配当金	21	16
投資有価証券売却益	41	—
為替差益	158	—
受取補償金	47	159
その他	45	26
営業外収益合計	353	232
営業外費用		
持分法による投資損失	91	94
支払利息	157	337
為替差損	—	42
その他	121	51
営業外費用合計	370	526
経常利益又は経常損失(△)	2,413	△3,798
特別利益		
投資有価証券売却益	209	—
特別利益合計	209	—
特別損失		
固定資産処分損	31	10
特別損失合計	31	10
税金等調整前中間純利益又は 税金等調整前中間純損失(△)	2,591	△3,808
法人税、住民税及び事業税	252	33
法人税等調整額	596	35
法人税等合計	849	68
中間純利益又は中間純損失(△)	1,742	△3,877
非支配株主に帰属する中間純損失(△)	△3	△9
親会社株主に帰属する中間純利益又は 親会社株主に帰属する中間純損失(△)	1,746	△3,867

(中間連結包括利益計算書)

(単位：百万円)

	前中間連結会計期間 (自 2025年 4 月 1 日 至 2025年 9 月30日)	当中間連結会計期間 (自 2026年 4 月 1 日 至 2026年 9 月30日)
中間純利益又は中間純損失 (△)	1,742	△3,877
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	578	△1,032
繰延ヘッジ損益	△1	5
為替換算調整勘定	△50	69
退職給付に係る調整額	△6	△24
その他の包括利益合計	520	△982
中間包括利益	2,263	△4,859
(内訳)		
親会社株主に係る中間包括利益	2,294	△4,862
非支配株主に係る中間包括利益	△30	3

(3) 中間連結キャッシュ・フロー計算書

(単位: 百万円)

	前中間連結会計期間 (自 2025年4月1日 至 2025年9月30日)	当中間連結会計期間 (自 2026年4月1日 至 2026年9月30日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税金等調整前中間純利益又は 税金等調整前中間純損失(△)	2,591	△3,808
減価償却費	1,459	1,081
投資有価証券売却損益(△は益)	△251	4
賞与引当金の増減額(△は減少)	278	330
株式報酬費用	27	36
受取利息及び受取配当金	△59	△46
支払利息	157	337
為替差損益(△は益)	△81	72
売上債権の増減額(△は増加)	△1,409	△878
未収入金の増減額(△は増加)	512	△93
棚卸資産の増減額(△は増加)	△1,706	△943
仕入債務の増減額(△は減少)	462	568
未払金の増減額(△は減少)	△318	778
未払消費税等の増減額(△は減少)	453	△401
前払費用の増減額(△は増加)	△90	△526
その他	△500	225
小計	1,526	△3,263
利息及び配当金の受取額	59	46
利息の支払額	△152	△345
法人税等の支払額又は還付額(△は支払)	783	△242
営業活動によるキャッシュ・フロー	2,216	△3,804
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	△792	△7,799
投資有価証券の売却及び償還による収入	293	17
関係会社株式の取得による支出	—	△350
その他	△88	△134
投資活動によるキャッシュ・フロー	△587	△8,267
財務活動によるキャッシュ・フロー		
短期借入金の純増減額(△は減少)	4,200	10,514
長期借入れによる収入	—	200
長期借入金の返済による支出	△2,200	△950
自己株式の純増減額(△は増加)	5	2
配当金の支払額	△1,220	△1,220
その他	△27	△21
財務活動によるキャッシュ・フロー	758	8,524
現金及び現金同等物に係る換算差額	38	△25
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	2,425	△3,571
現金及び現金同等物の期首残高	13,196	14,007
現金及び現金同等物の中間期末残高	15,621	10,435

(4) 中間連結財務諸表に関する注記事項

(セグメント情報等の注記)

当社グループは「医薬品事業」の単一セグメントであるため、記載を省略しております。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

該当事項はありません。

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(重要な後発事象の注記)

(重要な契約の締結)

当社は、日本で製造販売承認取得済のJ-Brain Cargo[®]を適用した血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤JR-141 (一般名: パビナフスプ アルファ、日本での販売名: 「イズカーゴ。」) について、米国・欧州・中南米における開発および商業化に関する独占的ライセンス契約をItalfarmaco S. p. A. と締結いたしました。

(1) 契約の目的又は理由

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤JR-141の米国・欧州・中南米における開発および商業化の促進

(2) 契約の相手会社の名称

Italfarmaco S. p. A.

(3) 契約の締結時期

2026年10月2日

(4) 契約の内容

血液脳関門通過型ハンター症候群治療酵素製剤JR-141の米国・欧州・中南米における開発および商業化に関する独占的ライセンス契約

(5) 契約の締結が営業活動等へ及ぼす重要な影響

契約締結に伴い、当社は同社より契約一時金を受領いたします。また、各国での開発の進捗に応じたマイルストーンを受領する権利を有しており、上市後は、売上高に応じたロイヤリティおよび売上高目標達成に応じたマイルストーン、ならびに製品供給の対価を受領する権利を有しております。

3. その他

研究開発項目

開発番号	開発段階	対象疾患	備考
J R - 1 4 1 (血液脳関門通過型遺伝子組換え イズロン酸-2-スルファターゼ)	グローバル: 臨床 第3相試験	ムコ多糖症Ⅱ型 (ハンター症候群)	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用
J R - 1 4 2 (遺伝子組換え持続型ヒト成長ホルモン)	日本: 臨床 第3相試験	小児成長ホルモン分泌不全 性低身長症	「J-MIG System [®] 」採用
J R - 4 0 1 G (遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン)	日本: 臨床 第3相試験	小児成長ホルモン分泌不全 性低身長症	グロウジェクト [®] について 用量調整可能な用法用量の 開発
J R - 1 7 1 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ)	グローバル: 臨床 第1/2相試験	ムコ多糖症Ⅰ型 (ハーラー症候群等)	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用 「J-MIG System [®] 」採用
J R - 4 4 1 (血液脳関門通過型遺伝子組換え ヘパランN-スルファターゼ)	ドイツ: 臨床 第1/2相試験 日本: 臨床 第1相試験	ムコ多糖症ⅢA型 (サンフィリップ症候群A 型)	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用
J R - 4 4 6 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α -N-アセチルグルコサミニダーゼ)	日本: 臨床 第1/2相試験 グローバル: 臨床 第1/2相試験	ムコ多糖症ⅢB型 (サンフィリップ症候群B 型)	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用
givinostat	日本: 承認申請準備中	デュシェンヌ型筋ジストロ フィー	Italfarmaco S.p.A. から の導入品
J R - 4 7 1 (血液脳関門通過型遺伝子組換え α -L-フコシダーゼ)	前臨床	フコシドーシス	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用
J R - 4 7 9 (血液脳関門通過型遺伝子組換え β -ヘキソサミニダーゼA)	前臨床	GM2 ガングリオシドーシ ス (テイ・サックス病、サン ドホフ病)	酵素補充療法 「J-Brain Cargo [®] 」採用