

2027年3月期 第2四半期 決算説明会

2026年10月29日

J C R 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未満切り捨て、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、合計に差異が生じる場合があります。

代表取締役会長
芦田 透



(単位：百万円)

	2026年3月期	2027年3月期	
	Q2累計	Q2累計	年間進捗率
売上高	21,362	19,974	43.7%
販売費及び一般管理費	14,659	17,726	52.2%
(うち研究開発費)	7,835	10,230	52.7%
営業利益	2,429	△3,504	- *年間計画は1,100

売上高

契約金収入の減少により前同比減収、年間進捗率は低めだが通期予想達成を目指す

- 契約金収入を除く売上高は、グロウジェクト®の年間進捗率がやや低い、イズカーゴ®は好調に推移し、全体では計画通りに進捗
- 契約金収入は、Q2での計上はなく年間進捗率が低い、Q3以降の計上により、通期予想の達成を目指す

販売費及び一般管理費

主に開発費の増加により前同比大幅増、年間進捗率も高め

- 研究開発費は進捗率が高く、通期予想を上回る可能性があるものの、販管費全体で計画に近づけるよう努める

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

代表取締役社長
藺田 啓之 Ph.D.



givinostat

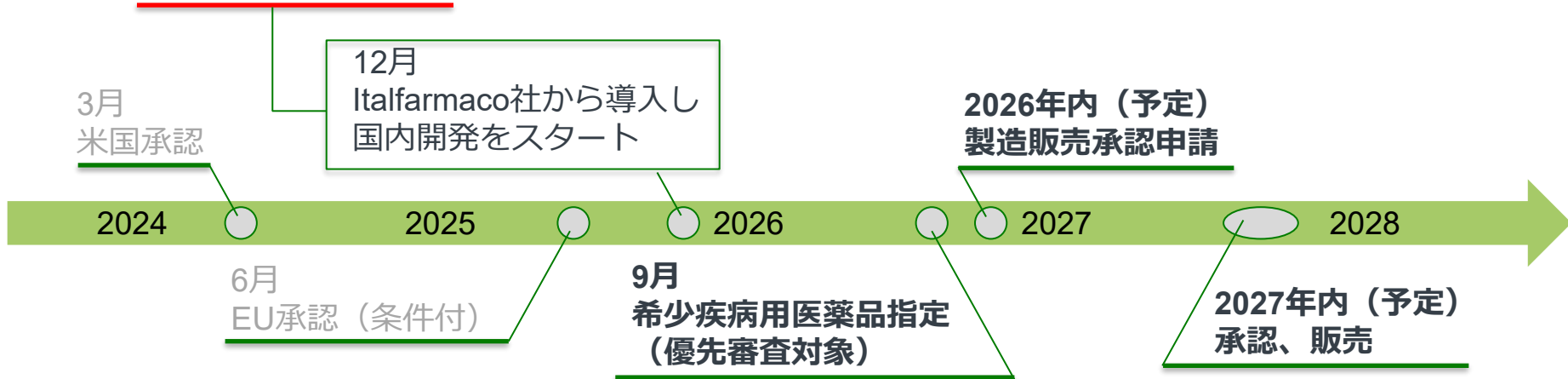
ヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）阻害剤

対象疾患：デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）



国内売上
(導入品を含む)

- 既存の治療薬とは異なる作用機序を有し、**患者の遺伝子変異に依存せず使用可能**
- プラセボ対象の第III相試験で主要評価項目を達成し、海外の複数国で既に承認済み
- 日本ではドラッグラグが生じている



海外の臨床データを基に申請する計画とし、
2026年内の国内承認申請に向けて順調に進捗

givinostat

海外での適用対象

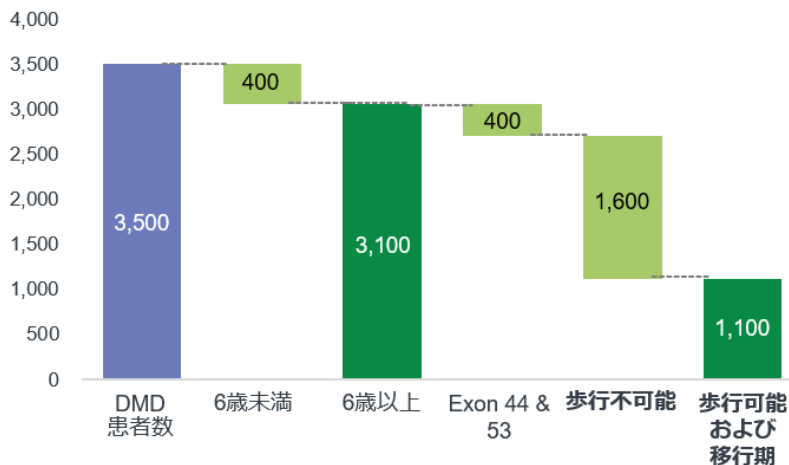
米国：6歳以上の患者

EU：ステロイドを併用する、歩行可能な6歳以上の患者



国内売上
(導入品を含む)

日本におけるDMD患者の内訳¹



「歩行可能な6歳以上の患者」

国内1,000人以上

治療コスト **5,000万円/年²**

対象患者の**70%**が使用と想定



売上高 **約350億円**

2026年10月 20名のDMD患者を対象に国内臨床試験を開始
(歩行可能10名、歩行不能10名を組入れ予定)

1. 右記情報を基に算出 (川井 充. 脳と発達. 2013;45(Suppl.):S324, Remudy (Registry of Muscular Dystrophy), およびNakamura H et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013;8:60)

2. 海外のgivinostatの治療コストを参考に算出 (当社調べ)

2025年7月

Acumen社（米国）とオプション権付のライセンス契約を締結

- 全世界での開発、製造、販売に関する独占的オプション権をAcumen社に付与
- 当社は最大で5億5,500万米ドルのマイルストーンフィーを受領



技術ライセンス収入

AβO選択的抗体にJ-Brain Cargo®を適用したアルツハイマー病治療薬を開発中



2026年6月

2027年中ごろ

Acumen社がオプション権を行使

IND（新薬臨床試験開始）申請予定

イズカーゴ®（開発番号：JR-141）

- ・ 血液脳関門通過技術 J-Brain Cargo®を適用したムコ多糖症II型の治療酵素製剤
- ・ 2021年に日本国内で製造販売承認を取得し、販売を開始

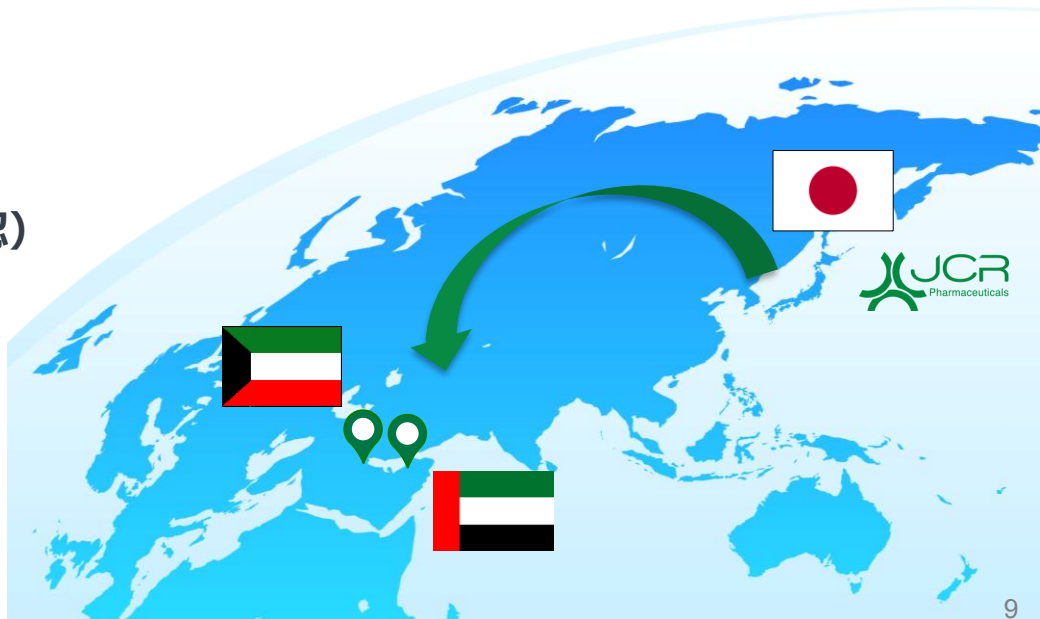


日本の製造販売承認を活用した事業展開として、Taiba Middle East FZ LLCと販売委託契約を締結

中東の2カ国で製造販売承認を取得

2026年 7月 アラブ首長国連邦
10月 クウェート（条件付承認）

MENA（中東・北アフリカ）地域の各国においてもイズカーゴ®の承認を取得し、Taiba社が販売を行う予定





2026年10月 Italfarmaco社とJR-141のライセンス契約を締結

- **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
- 承認取得後、**Italfarmaco社は契約地域における販売および流通**を担当し、**当社がJR-141の製造**を担当
- 当社は開発および販売マイルストーン、販売後ロイヤルティ、製品供給の対価を受領

**JR-141の欧米での承認を見据えて
Italfarmaco社との連携を強化**

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				～2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定 - Italfarmacoに導出
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）				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）				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 完了				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）				- Ph1、Ph1/2ともに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）	Global Ph1/2				2026年9月：グローバルPh1/2試験にて第一症例への投与を開始 - 日本での早期の承認取得を目指して対応中 - メディカルホールディングスに導出
		Ph1/2（日本）				
JR-471	フコシドーシス					- グローバルで自然歴研究が進行中 - メディカ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）					メディカ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	2026年内の製造販売承認申請に向け準備中				2027年内に日本で承認取得、販売開始予定

11

- 2026年7月に閣議決定された日本成長戦略において、「合成生物学・バイオ」「創薬・先端医療」を含む17の重点分野への官民投資方針が示された

※資料1-3を基に当社作成

日本成長戦略の重点施策 「合成生物学・バイオ」「創薬・先端医療」関連抜粋※	合致する領域	JCRの強み・取り組み
希少疾病・難病の研究開発支援	①希少疾病	希少疾病領域にフォーカスした研究開発
創薬プラットフォーム技術の開発支援 大学/製薬企業/スタートアップの連携強化	②創薬基盤技術	- J-Brain Cargo®などの独自技術 - 遺伝子治療・再生医療・細胞医療等への独創的な取り組み
ドラッグラグ・ロスの解消	③新薬アクセス	- 筋ジストロフィー治療薬の国内導入 - 海外臨床データのみでの承認申請
バイオ医薬品等の国内製造力を強化	④国内バイオ医薬品製造	政府補助金を活用したバイオ医薬品製造設備の拡充（新工場建設、製造受託 等）

JCRの事業戦略と政策の方向性が高レベルで一致

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



Life is Rare

Appendix

2027年3月期

- 第2四半期 連結業績
- 通期 連結業績予想

(百万円)	2026年3月期	2027年3月期			
	Q2累計	Q2累計	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
売上高	21,362	19,974	△1,388	△6.5%	43.7%
売上原価	4,273	5,752	+1,479	+34.6%	54.1%
売上総利益	17,089	14,221	△2,867	△16.8%	40.5%
販売費及び一般管理費	14,659	17,726	+3,066	+20.9%	52.2%
販売・一般管理費	6,824	7,496	+671	+9.8%	51.5%
研究開発費	7,835	10,230	+2,395	+30.6%	52.7%
営業利益	2,429	△3,504	△5,934	-	-
営業外収益	353	232	△121	△34.3%	-
営業外費用	370	526	+155	+42.1%	-
経常利益	2,413	△3,798	△6,211	-	-
特別利益	209	-	△209	△100.0%	-
特別損失	31	10	△20	△66.6%	-
税引前純利益	2,591	△3,808	△6,400	-	-
法人税等	845	59	△786	△93.0%	-
親会社株主に帰属する四半期純利益	1,746	△3,867	△5,613	-	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の研究開発費	8,226	11,656	+3,430	+41.7%	47.9%

連結決算概要に関する補足説明

- 売上高は契約金収入の減少を主因に減収
契約金収入の年間進捗率は低いものの、Q3以降の計上により通期予想の達成を目指す
- 売上原価率（契約金を除く）はプロダクトミックスの影響により若干上昇
- 研究開発費は前年同期比で大幅増だが、計画に対してはほぼ想定通りの進捗
- 営業外収益の減少は主に前期に計上した為替差益が当期は発生しなかったため
- 営業外費用の増加は主に支払利息の増加、為替差損の計上によるもの

対売上高	2026年3月期 Q2累計	2027年3月期 Q2累計	増減
売上原価率	20.0%	28.8%	+8.8%
売上原価率 (契約金除く)	26.0%	26.7%	+0.7%
研究開発費率	36.7%	51.2%	+14.5%
営業利益率	11.4%	△17.5%	△28.9%

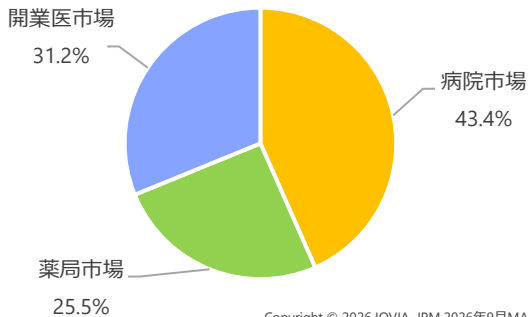
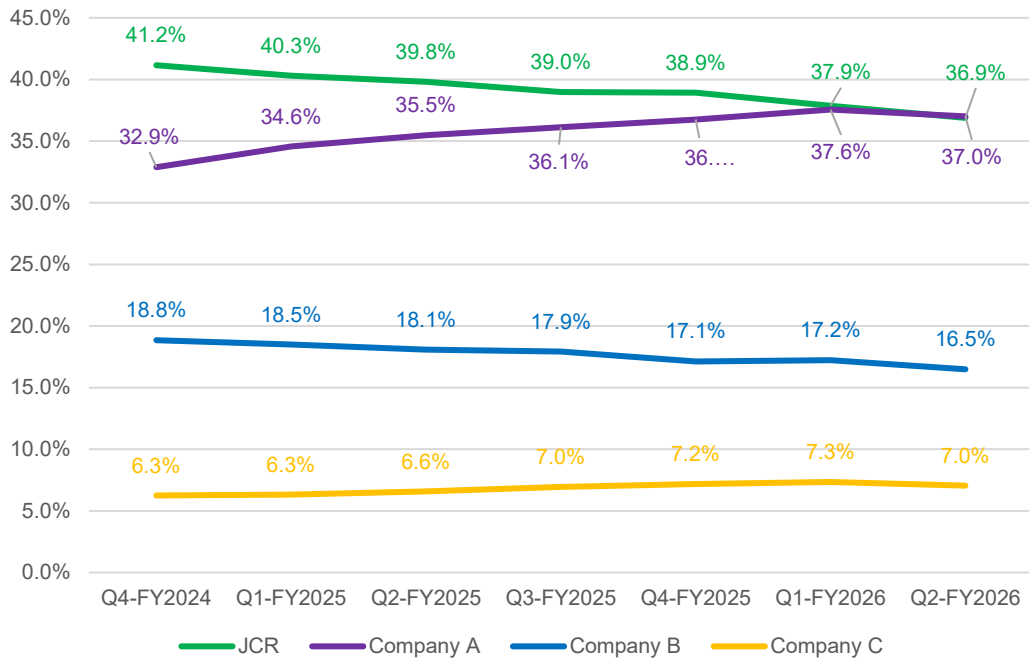
(百万円)	2026年3月期	2027年3月期			
	Q2累計	Q2累計	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
グロウジェクト®	8,915	7,888	△1,026	△11.5%	45.0%
イズカーゴ®	3,354	3,634	+280	+8.4%	52.6%
テムセル®HS注	1,582	1,323	△259	△16.4%	49.0%
腎性貧血治療薬	1,580	1,697	+117	+7.4%	45.1%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	296	460	+164	+55.6%	31.4%
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」	1,283	1,236	△46	△3.7%	53.8%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	426	958	+532	+125.1%	46.1%
医薬品合計	15,858	15,503	△354	△2.2%	47.0%
契約金収入	5,015	1,474	△3,540	△70.6%	18.1%
その他	489	2,996	+2,506	+512.4%	-
売上高合計	21,362	19,974	△1,388	△6.5%	43.7%

売上高内訳に関する補足説明

- グロウジェクト®は前年同期比で減収
通期予想に対する進捗率はやや低い、
計画達成に向けて取り組む
- イズカーゴ®は新規症例の導入が順調
通期計画を上回るペースで推移
- テムセル® HS注は計画通りに推移
- 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
- 契約金収入は年間進捗率が低い、Q3以
降の計上により通期予想の達成を目指す

■ 国内GH市場

国内GH市場シェア推移（FY2024 Q4～FY2026 Q2）※薬価ベース



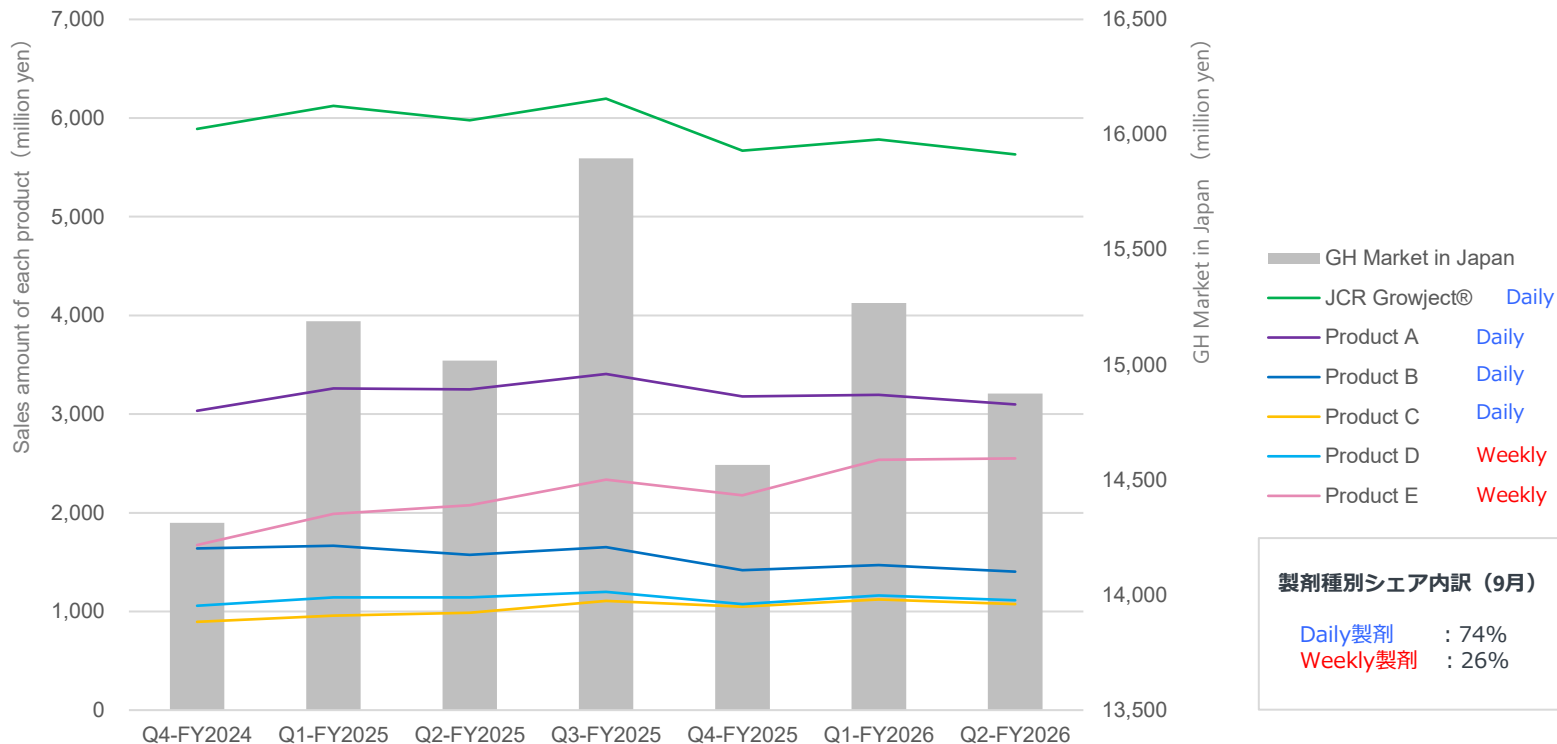
Copyright © 2026 IQVIA. JPM 2026年9月MATを基に作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

■ 各市場別 グロウジェクト®獲得シェア

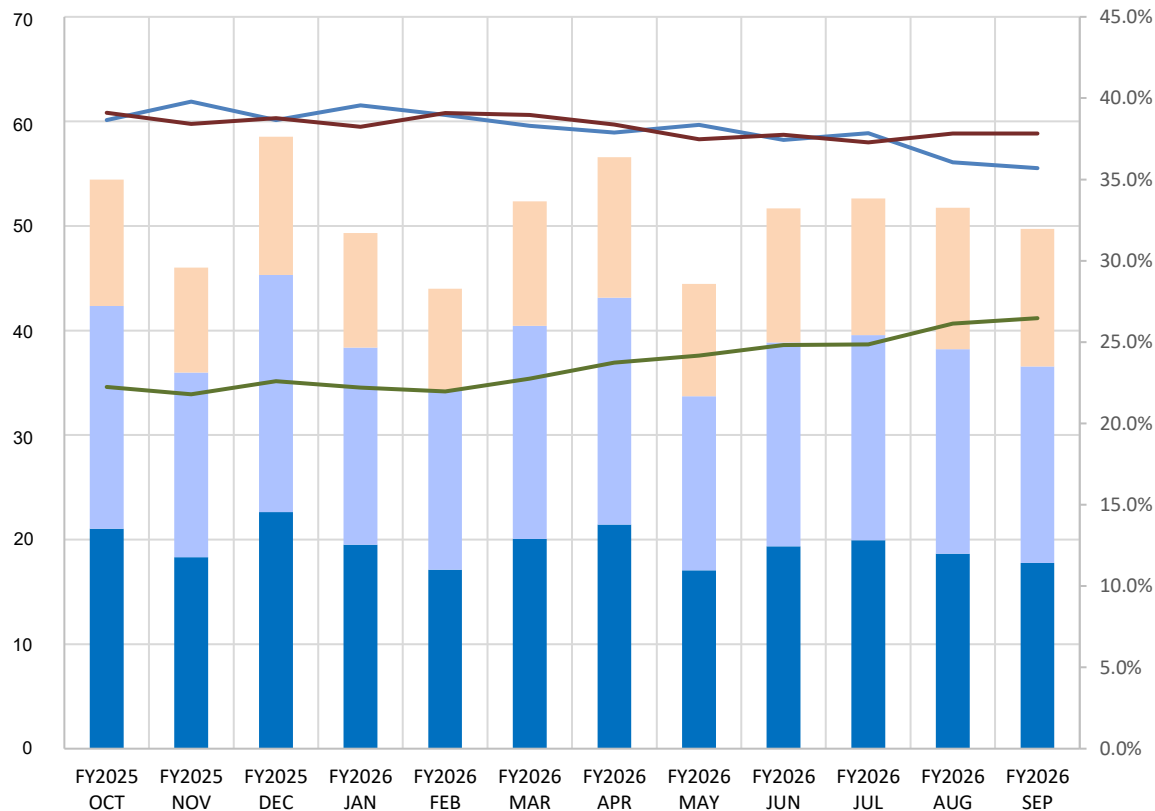
	2026年 9月時点	FY2026 Q2売上増減 (vs FY2025 Q2売上) ※薬価ベース
病院市場	30.4%	-127百万円
薬局市場	26.7%	-66百万円
開業医市場	54.9%	-152百万円

Copyright © 2026 IQVIA. JPM (2026年7月-2026年9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 Q4～FY2026 Q2）※薬価ベース

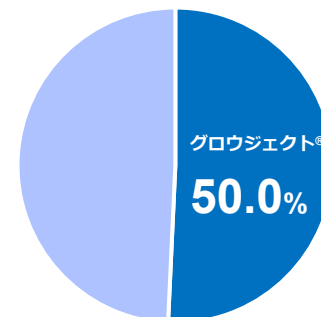


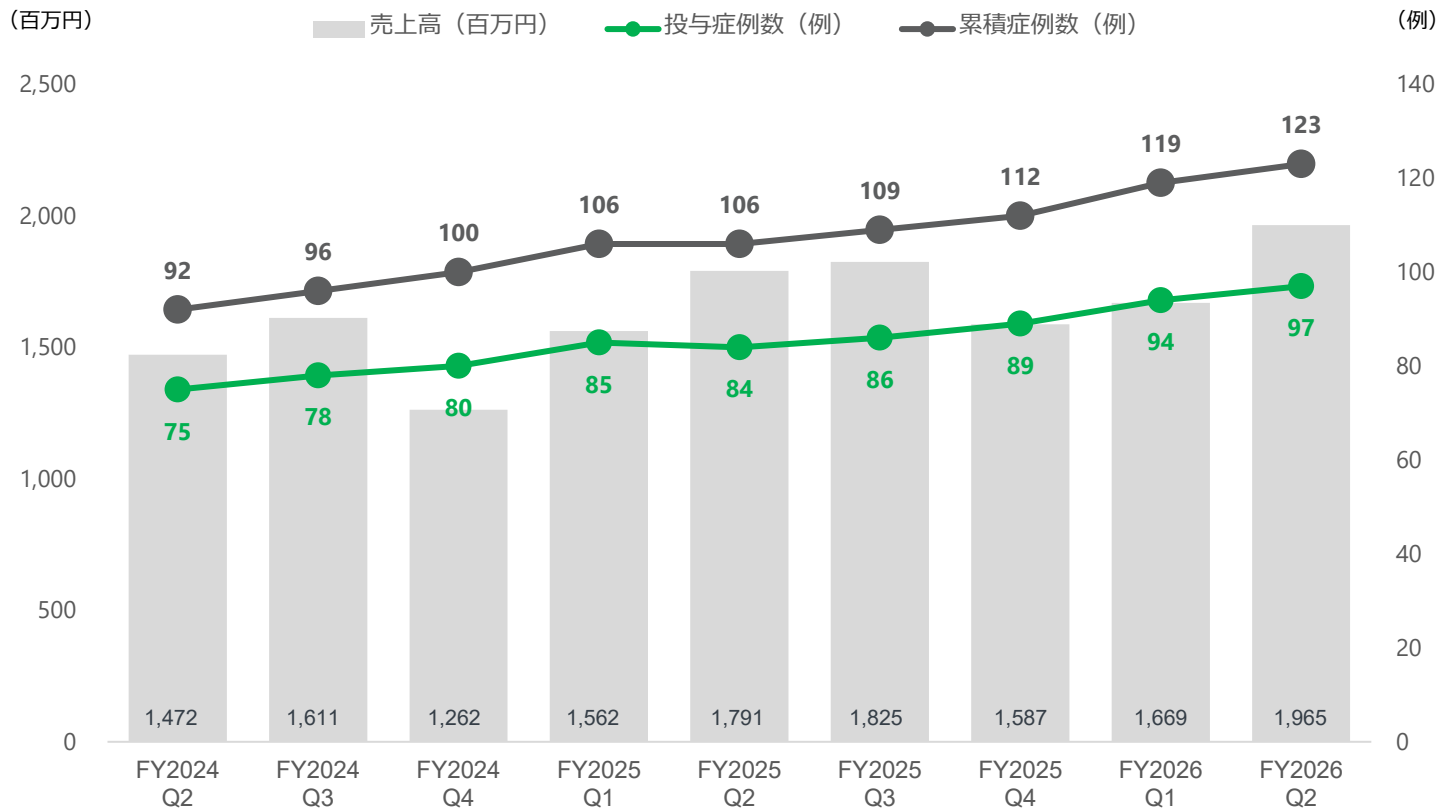
(億円)



- 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
FY2025 OCT～FY2026 SEP





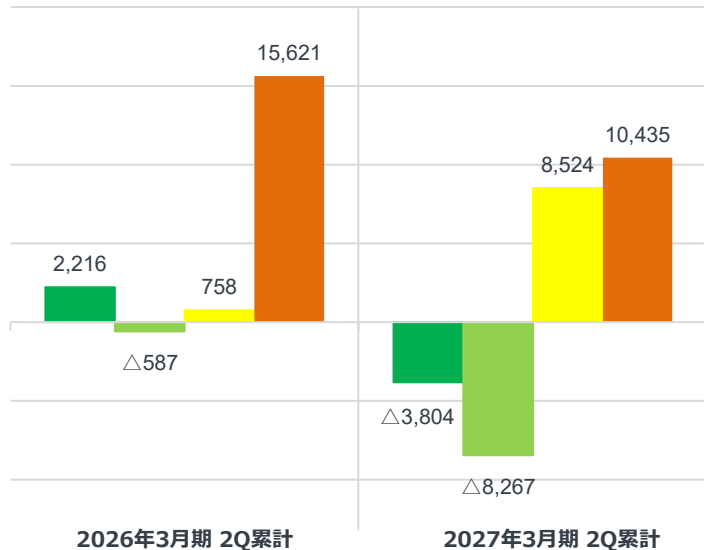
(百万円)	2026年 3月末	2026年 9月末	増減 ・ 主な増減項目		2026年 3月末	2026年 9月末	増減 ・ 主な増減項目
流 動 資 産	56,076	54,667	計 △1,408				計 +10,945
			・ 現金及び預金 △3,571	流 動 負 債	48,135	59,080	・ 短期借入金 +10,114
			・ 売掛金 +878				
			・ 棚卸資産 +943	固 定 負 債	13,741	13,406	計 △335
固 定 資 産	53,160	59,209		負 債 合 計	61,877	72,487	・ 長期借入金 △350
			計 +6,049				計 +10,610
			・ 建設仮勘定 +5,341	純資産合計	47,359	41,389	計 △5,969
							・ 配当の支払 △1,222
合 計	109,236	113,876	4,640	合 計	109,236	113,876	・ 当期純損失 △3,867
							4,640

財務状態に関する補足説明

- ・ 流動資産：売掛金および棚卸資産が増加、現金及び預金が減少
- ・ 固定資産：建設仮勘定が増加（新製剤工場の建設）
- ・ 流動負債：短期借入金が増加（短期借入金には、新製剤工場建設に係る補助金受領までのつなぎ融資を含む）

	2026年 3月末	2026年 9月末
自 己 資 本 率 比	42.9%	35.9%

■ 営業活動によるCF
 ■ 投資活動によるCF
■ 財務活動によるCF
 ■ 期末現金及び現金同等物



(百万円)	2026年3月期	2027年3月期	
	Q2累計	Q2累計	通期（予想）
減価償却費	1,459	1,081	2,000
設備投資	792	7,799	10,700

補助金受給に伴う圧縮記帳により、減価償却の対象となる固定資産の帳簿価額が減少したため、減価償却費が前年同期比で減少

(百万円)	2026年 3 月期 2Q累計	2027年3月期 2Q累計
税金等調整前純利益	2,591	△3,808
減価償却費	1,459	1,081
売上債権・未収入金（△増加）	△897	△972
棚卸資産（△増加）	△1,706	△943
仕入債務・未払金（+増加）	144	1,347
法人税等の支払	783	△242
その他	△159	△266
営業活動によるCF	2,216	△3,804
設備投資	△792	△7,799
その他	204	△467
投資活動によるCF	△587	△8,267
借入金	2,000	9,764
配当金・自己株式	△1,214	△1,218
その他	△27	△21
財務活動によるCF	758	8,524
現金及び現金同等物の増減額	2,425	△3,571
期末現金及び現金同等物	15,621	10,435

(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%

(百万円)	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%	
エボエチンアルファ 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%	

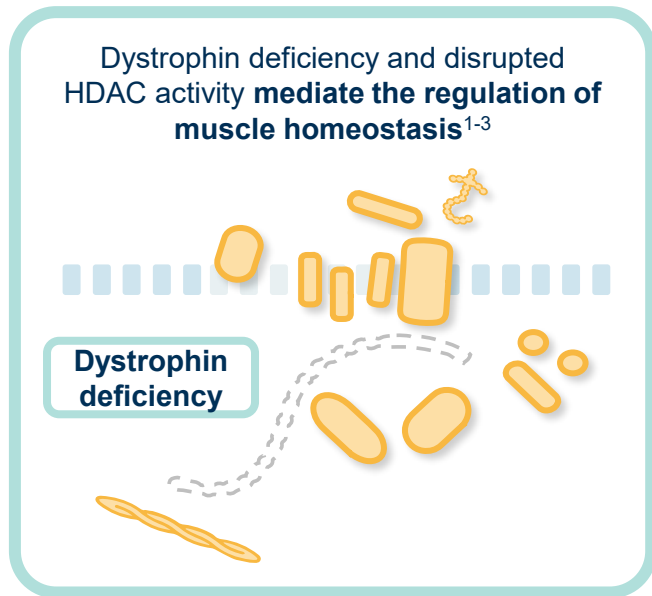
売上高内訳（予想）に関する補足説明

- 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

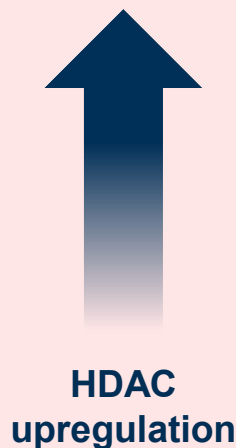
givinostat

ジストロフィンの欠損により HDAC*活性が上昇

*HDAC: ヒストン脱アセチル化酵素



HDACの亢進に伴う
DMD病態イベント



Pathological events associated with
HDAC upregulation³

Muscular atrophy⁴⁻⁸

筋萎縮

**Activation of chronic
inflammatory pathways**^{4,6,7}

慢性的な炎症

**Impairment of muscle repair
mechanisms**^{4,6,7}

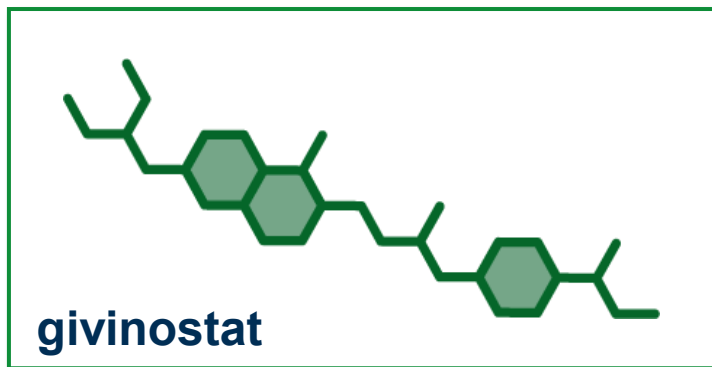
筋修復の低下

**Fibrogenesis and
adipogenesis**^{4,6,7}

筋の繊維化と脂肪化

DMD, Duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase.

1. Consalvi S, et al. *Mol Med*. 2011;17(5-6):457-465. 2. Kodippili K, et al. *Front Physiol*. 2023;14:1180980. 3. Sandonà M, et al. *Int J Mol Sci*. 2023;24(5):4306. 4. Wilson DGS, et al. *Commun Biol*. 2022;5(1):1022. 5. Campbell KP, et al. *Nature*. 1989;338(6212):259-262. 6. Guiraud S, et al. *Exp Physiol*. 2015;100(12):1458-1467. 7. Reid AL, Alexander MS. *Life*. 2021;11(7):648; 8. Ervasti JM, et al. *J Cell Biol*. 1993;122(4):809-823.



Givinostat is a potent pan-HDAC inhibitor

HDAC阻害剤

DMDにより亢進したHDACを阻害することで**筋恒常性の不均衡を是正する**^{1,2}

- 筋修復、筋再生の促進^{3,4}
- 線維化および脂肪化の抑制³
- 疾患の進行抑制、運動機能の維持^{5,6}

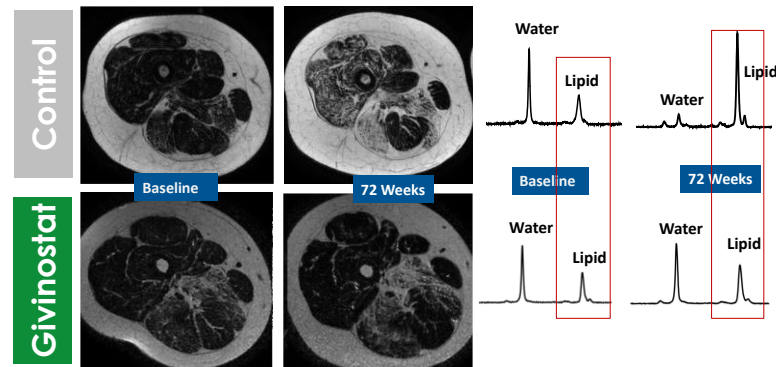
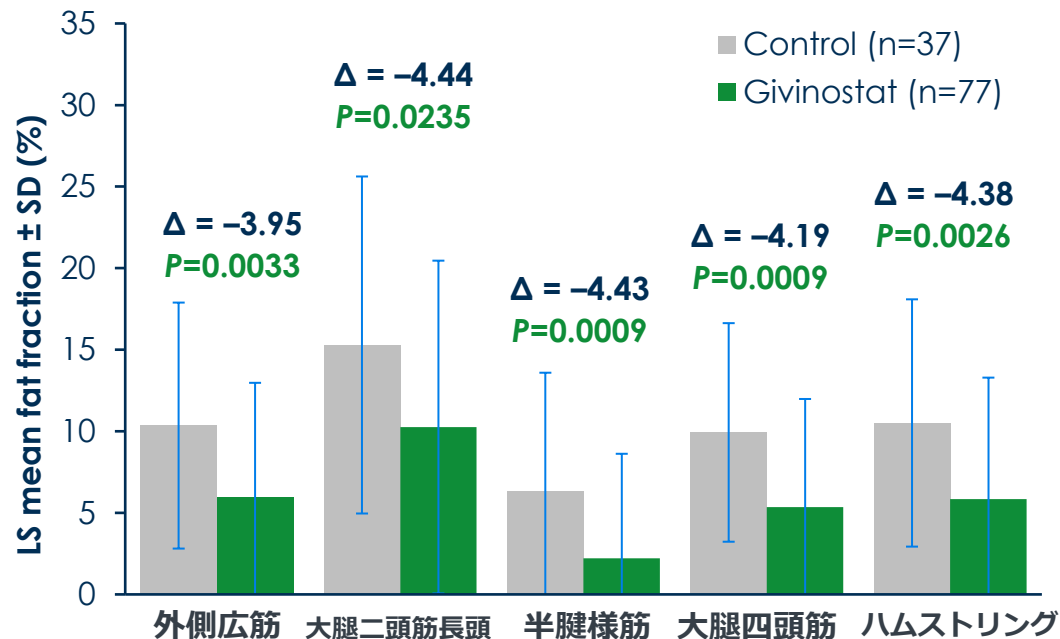
DMD, duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase.

1. Consalvi S et al. *Mol Med*. 2011;17(5-6):457-465. 2. Kodippili K, Rudnicki MA. *Front Physiol*. 2023;14:1180980. 3. Bettica P et al. *Neuromuscul Disord*. 2016;26(10):643-649. 4. Sandonà M et al. *EMBO Rep*. 2020;21(9):e50863.

5. Mercuri E et al. *Lancet Neurol*. 2024;23(4):393-403. 6. ClinicalTrials.gov. NCT02851797. Updated 2 February 2023. Available at <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02851797>. Accessed August 1, 2024.

givinostat は、歩行機能に重要な5つの筋において、対照群と比較して脂肪割合を低下させた（72週時点）

大腿四頭筋およびハムストリングにおける脂肪割合*



The images on the slide are from a single patient and may not be representative of all patients in EPIDYS.

*P-values are nominally significant, but not statistically significant.

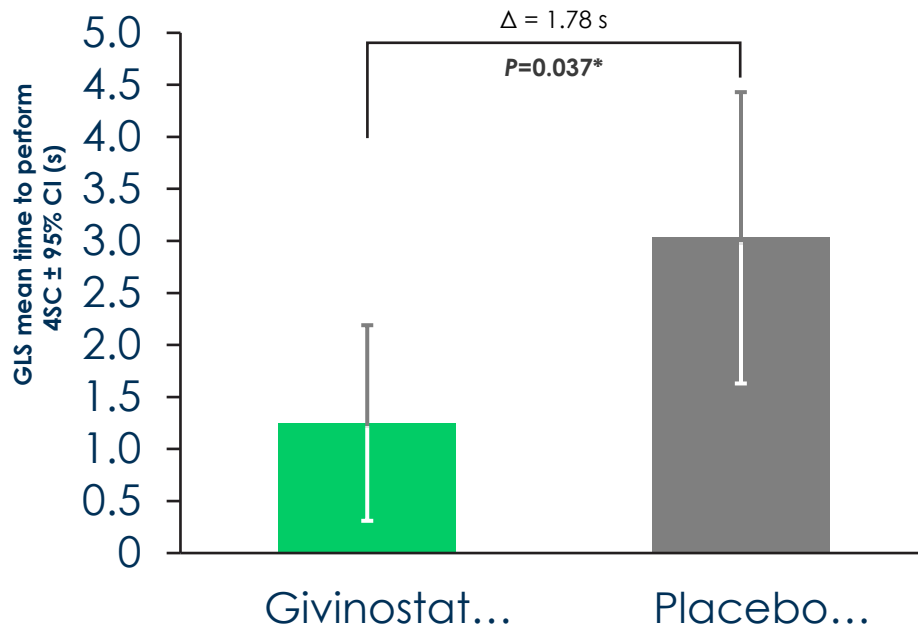
LS, least squares; SD, standard deviation

Vandenborne K. Oral presentation at Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference; March 19-22, 2023; Dallas, TX, USA.

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)

- givinostat + コルチコステロイドは、
プラセボ + コルチコステロイドと比較
して、72週時点において、4SC*試験
時間の悪化を1.78秒減少させた

*4SC: 4段階



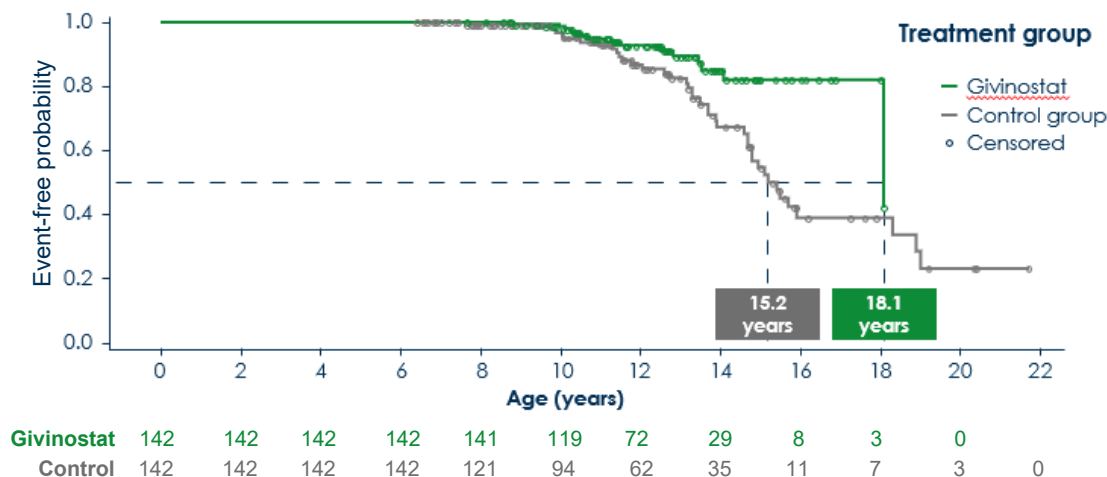
*Data are means and 95% confidence intervals. The confidence intervals have not been adjusted for multiplicity and should not be used for hypothesis testing. Baseline mean values were 3.39 s and 3.48 s for the givinostat and placebo groups, respectively. All patients were also receiving systemic corticosteroids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

4SC, 4-stair climb; GLS, geometric least squares; s, seconds.

1. Mercuri E et al. *Lancet Neurol.* 2024;23(4):393-403.

- givinostatとコルチコステロイド（標準治療）を併用した患者では、標準治療単独の患者と比較して、歩行能力が2.9年間維持された

（ハザード比 0.42; 95%信頼区間 0.23-0.76; $P=0.004$ ）



Parameter	Givinostat (n=142)	Control (n=142)
Patients, n (%)		
Assessed	142 (100)	142 (100)
Who lost ambulation	14 (9.9)	39 (27.5)
Censored	128 (90.1)	103 (72.5)
Age at loss of ambulation, years		
Median (95% CI)	18.1 (18.09, NE)	15.2 (14.70, 18.31)
P-value	0.004	
HR (95% CI)*	0.42 (0.23, 0.76)	

*HR and associated 95% CI and P value are obtained from a Cox proportional hazards model, including the treatment group as an independent classification factor.

HR, hazard ratio; NE, not estimable.

1. McDonald CM, et al. *Ann Clin Transl Neurol*. Published online August 19, 2025.

2. EPIDYS studyを含むデータを用いて自然歴研究との比較を行ったpost hoc analyses（事後解析）

DMD治療として、国内では2製剤が承認されている（ステロイドを除く）

	承認状況			対象となるDMD患者 ¹
	日本	米国	EU	
遺伝子治療	✓ ²	✓	—	日本： ・抗AAVrh74抗体が陰性の患者 ・歩行可能な患者 ・3歳以上8歳未満の患者
エクソンスキッピング療法	✓ ²	✓	—	日本： ・特定の遺伝子変異を有する患者 ³

既存薬では年齢や遺伝子変異の条件により適用対象となり得る患者は限定的
アンメットメディカルニーズは大きい

givinostat	—	✓	✓ ²	米国：6歳以上の患者 EU：ステロイドを併用する、歩行可能な6歳以上の患者
------------	---	---	----------------	--

Others

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

Taiba Middle East FZ LLC

- イズカーゴ®の販売委託（中東・北アフリカ地域の各国）

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

Italfarmaco S.p.A.

- JR-141の導出（米国・欧州・中南米）
- 株式会社メディカルホールディングス
- JR-471, JR-446, JR-479の導出

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



国内承認製品の
海外展開

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



Italfarmaco S.p.A

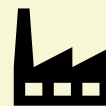
- 1938年設立（イタリア、ミラノ）の非上場グローバル製薬企業
- 処方薬および一般用医薬品の開発、製造、マーケティング、販売
- がん、神経科、心血管疾患を含む多くの領域で実績を確立
- 希少疾病部門では、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、真性多血症のプログラムを展開



従業員数
 >4000名



事業展開
 >90カ国



製造サイト
 6施設
 （GMP準拠）



売上高
 11億ユーロ
 （2024）

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-471

血液脳関門通過型遺伝子組換えα-L-フコシダーゼ
対象疾患：フコシドーシス

- フコシドーシス

- ・ 病因：代謝酵素であるα-L-フコシダーゼの活性低下により発症
- ・ 症状：精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など
- ・ 報告された症例数は**世界で120例未満という超希少疾病**
- ・ **承認された治療薬はない**

既知の臨床データが極めて少ない現状を
踏まえ、データ集積のための自然歴研究
をグローバルで開始

概要

試験名

- ・ フコシドーシス患者を対象とした後ろ向きおよび前向き自然歴研究※

目的

- ・ フコシドーシスの症状、および経過に伴う病状の進行について理解すること

研究期間

- ・ 2026年3月 ～ 2031年1月（予定）

目標症例数

- ・ 57名

実施国

- ・ 米国の他、複数カ国での実施を予定

Clinical Trials.gov

- ・ [NCT07615400](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07615400)

※カルテ等を用いて現在から過去にさかのぼりデータを集める（後ろ向き）研究、および現在から将来に向けてデータを集める（前向き）研究の両方を行う観察研究

AAV	Adeno-associated virus	アデノ随伴ウイルス
BBB	Blood-brain barrier	血液脳関門
CRO	Contract Research Organization	開発業務受託機関
DMD	Duchenne muscular dystrophy	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
GHD	Growth hormone deficiency	成長ホルモン分泌不全性低身長症
HDAC	Histone deacetylase	ヒストン脱アセチル化酵素
IND	Investigational New Drug	新薬の臨床試験開始のための規制当局への申請またはその制度
i.v.	Intravenous injection	静脈注射
LSD	Lysosomal storage disorders	ライソゾーム病
MENA	Middle East and North Africa	中東および北アフリカ
MPS	Mucopolysaccharidosis	ムコ多糖症
NHI	National health insurance	-
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
PK	Pharmacokinetics	薬物動態
R&D	Research and development	研究開発
YTD	Year to date	年度累計