ＪＣＲファーマ株式会社

2027 年 3 月期第 2 四半期決算説明会

2026 年 10 月 29 日

イベント概要

[企業名]	ＪＣＲ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]	2027 年 3 月期第 2 四半期決算説明会
[決算期]	2027 年 3 月期　第 2 四半期
[日程]	2026 年 10 月 29 日
[ページ数]	25
[時間]	18:00 – 18:56 （合計：56 分、登壇：18 分、質疑応答：38 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 薗田　啓之　（以下、薗田） 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]*	シティグループ証券	山口　秀丸
	モルガン・スタンレーMUFG 証券	村岡　真一郎
	大和証券	橋口　和明
	ジェフリーズ証券	山木田　雅
	野村證券	川村　美帆
	東京海上アセットマネジメント	水野　要
[記者名]*	医薬通信社	石井　喜行

*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：ただ今より、ＪＣＲファーマ株式会社、2027 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を開催いたします。

説明前に、本日ご視聴の皆様にお断りを申し上げます。

本日のプレゼンテーションおよび質疑応答に関しては、後日、弊社 Web サイトにてスクリプトおよび動画を配信いたします。

また、注意事項に記載のとおり、本日の説明は、株主・投資家や報道関係者の皆様への、当社事業の情報提供を目的としたものであり、開発品および医薬品に関する宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではないことを、ご承知おきください。

登壇者をご紹介いたします。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、薗田啓之。

薗田：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・ベシェ。

ベシェ＊：こんにちは。

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。なお、薗田とアン・ベシェは、海外より参加をしております。

本日の資料は、弊社 Web サイトに、本日 15 時 30 分に掲載いたしました。お手元に資料が必要な方は、そちらをご参照ください。

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。質疑応答は約 40 分を予定しており、プレゼンテーションが全て終了した後に、ご質問をまとめてお受けいたします。

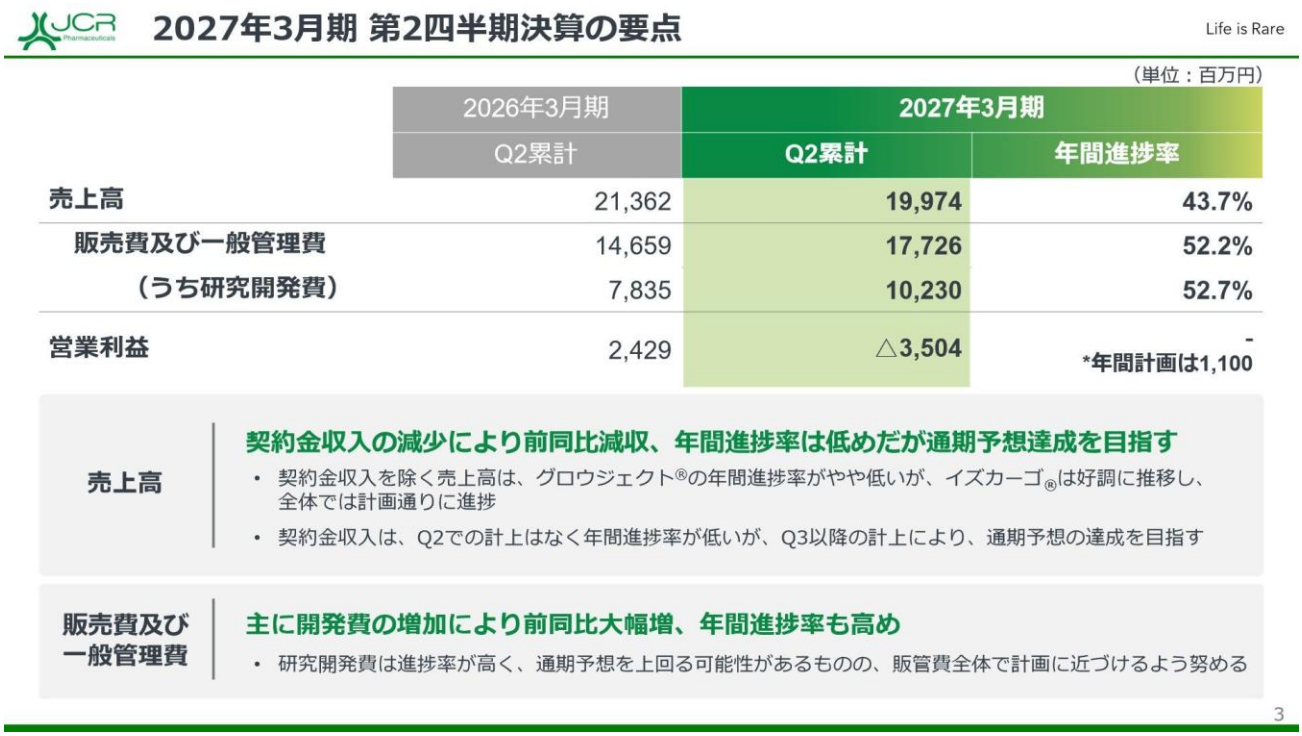
本日は、会長の芦田、社長の薗田の両名よりご説明をさせていただきます。芦田会長、よろしくお願いいたします。

芦田：会長の芦田透でございます。本日はお忙しい中ご参加いただきまして、本当にありがとうございます。まず、本日は私より、第 2 四半期決算の概況につきましてご説明をさせていただき、その後、社長の薗田より、詳細につきましてご説明をさせていただきます。

この第 2 四半期につきましては、主に契約金収入の計画未達により、業績面では赤字決算となりました。しかしながら、10 月 2 日にイタリアの Italfarmaco 社との間で JR-141 の海外ライセンス契約を締結し、今後の海外展開に向けて大きな進展を得ることができました。

また、その他の導出案件につきましても、順調に契約に向けた協議が進んでおり、通期業績の計画につきましては、達成可能であると考えております。

開発パイプラインにおきましては、givinostat の年内の国内申請に向けて、順調に準備を進めております。9 月にはオーファン・ドラッグおよび優先審査の指定を受けており、デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の患者さんに一日でも早くお届けできるよう、着実に進めております。



まず、第 2 四半期決算のポイントにつきましてご説明いたします。

契約金収入を除く売上は、グロウジェクトの年間進捗率がやや低いものの、イズカーゴは好調に推移しておりまして、全体としてはおおむね計画どおりの進捗をしております。

契約金収入につきましては、第 2 四半期での計上はなく、年間計画の進捗率は 18%にとどまっておりますが、第 3 四半期以降の計上を見込んでおり、通期の計画は達成できるものと考えております。

なお、10 月に Italfarmaco 社と締結しました、JR-141 のライセンス契約に係る一時金は、第 3 四半期に計上されます。また、JR-171 についても、導出の契約交渉が進展しております。

費用面では、研究開発費の進捗率が高く、特に開発費が年間計画を上回る可能性がありますが、販管費全体の最適化を含め、計画の範囲内に収まるよう取り組んでまいります。

この結果、第 2 四半期の営業利益は赤字となっておりますが、通期では、契約金収入を含む売上高の達成と費用の適切なコントロールにより、期初計画の達成を目指してまいります。

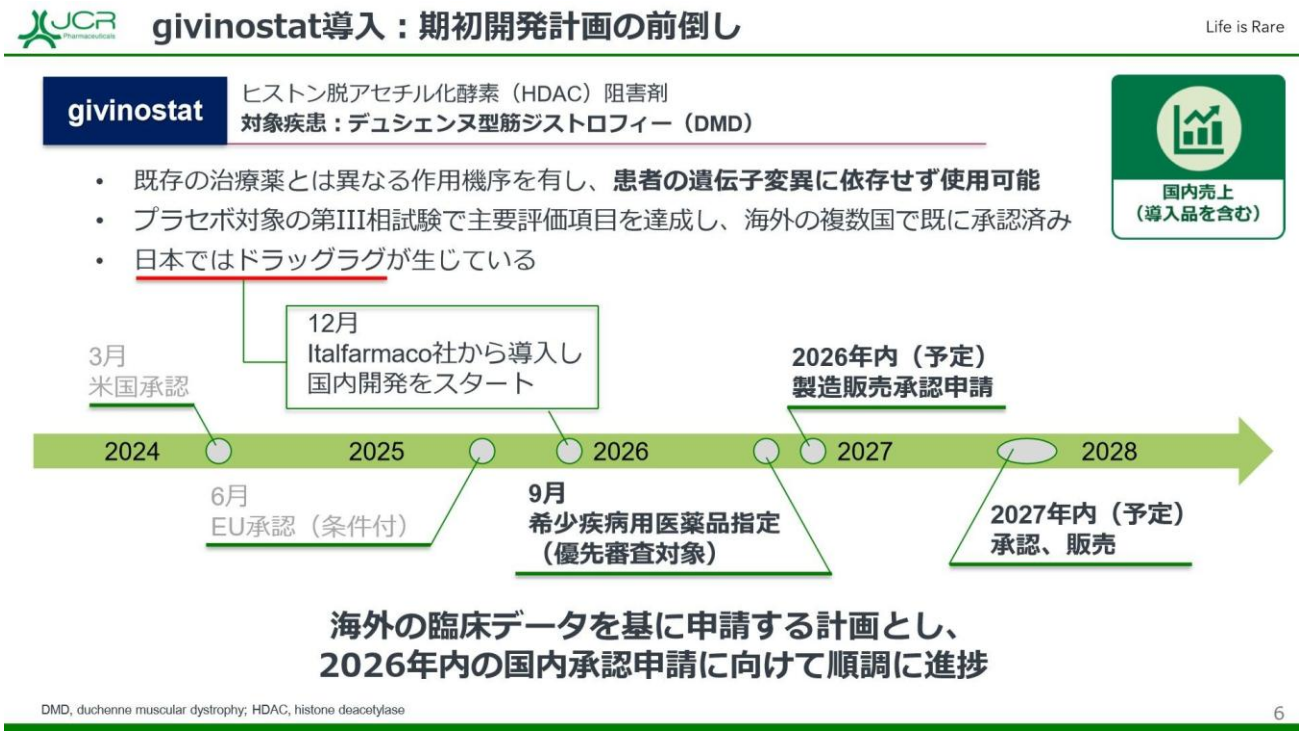
5 月の決算発表時にもお示ししましたとおり、当社は 2030 年代に売上高 1,000 億円企業を目指しております。この目標達成に向けまして、国内収益、技術ライセンス収入、海外収益を 3 本の成長のドライバーとして位置づけております。

第 2 四半期までの進捗としまして、国内収益では、givinostat の開発計画の前倒しと順調な進捗、技術ライセンス収入では、Acumen 社によるオプション権の行使、海外収益では、JR-141 の導出契約の締結に加え、イズカーゴの中東 2 カ国での承認取得などの進展がございました。

これらはいずれも、足元の業績を埋め合わせるものではありませんが、将来の収益基盤が着実にできつつあると考えております。

また、今後、givinostat が収益貢献するようになりましたら、今まで以上に投資と財務基盤のバランスを図ってまいりたいと考えております。

私からの説明は以上です。今後も企業価値向上に邁進してまいりますので、引き続きのご支援をよろしくお願い申し上げます。



薗田：ここから薗田です。よろしくお願いします。私が説明をしたいと思います。

先ほど、三つの成長ドライバーというお話をしました。それを一つずつ説明していきたいと思います。

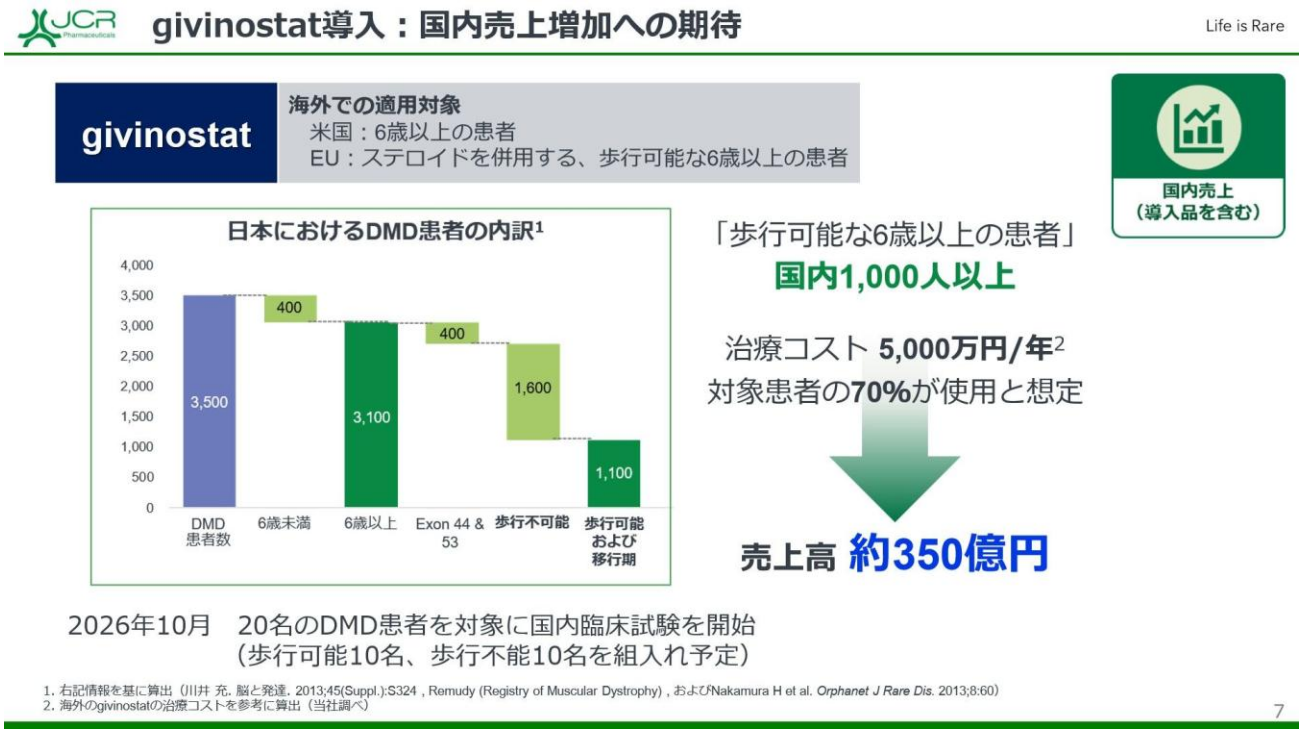
一つ目が国内売上に関して、givinostat の話をしたいと思います。

皆さん既にご存じのとおり、2025 年の 12 月に Italfarmaco 社から導入し、国内開発をスタートしました。この givinostat は、ヒストン脱アセチル化酵素、HDAC と呼びますが、その阻害剤で、対象疾患はデュシェンヌ型筋ジストロフィーです。

これは、既存の薬と異なる作用機序を持っていまして、遺伝子変異に依存せずに使用できるという点が大きな強みです。

また、海外では既にフェーズ 3 の試験が終了し、主要評価項目を達成しています。それを受けて、複数の国で既に承認、そして販売をされているということになります。

つまり日本では、ドラッグラグが生じている状況にあるということです。このドラッグラグを一刻も早く埋めるために、われわれは規制当局といろいろと相談をしまして、その結果、海外の臨床データをもとに申請をしていきます。そうなりますと 2026 年内に、承認申請を実施できると見通しております。これは大きな、当初の開発計画からの前倒しになります。



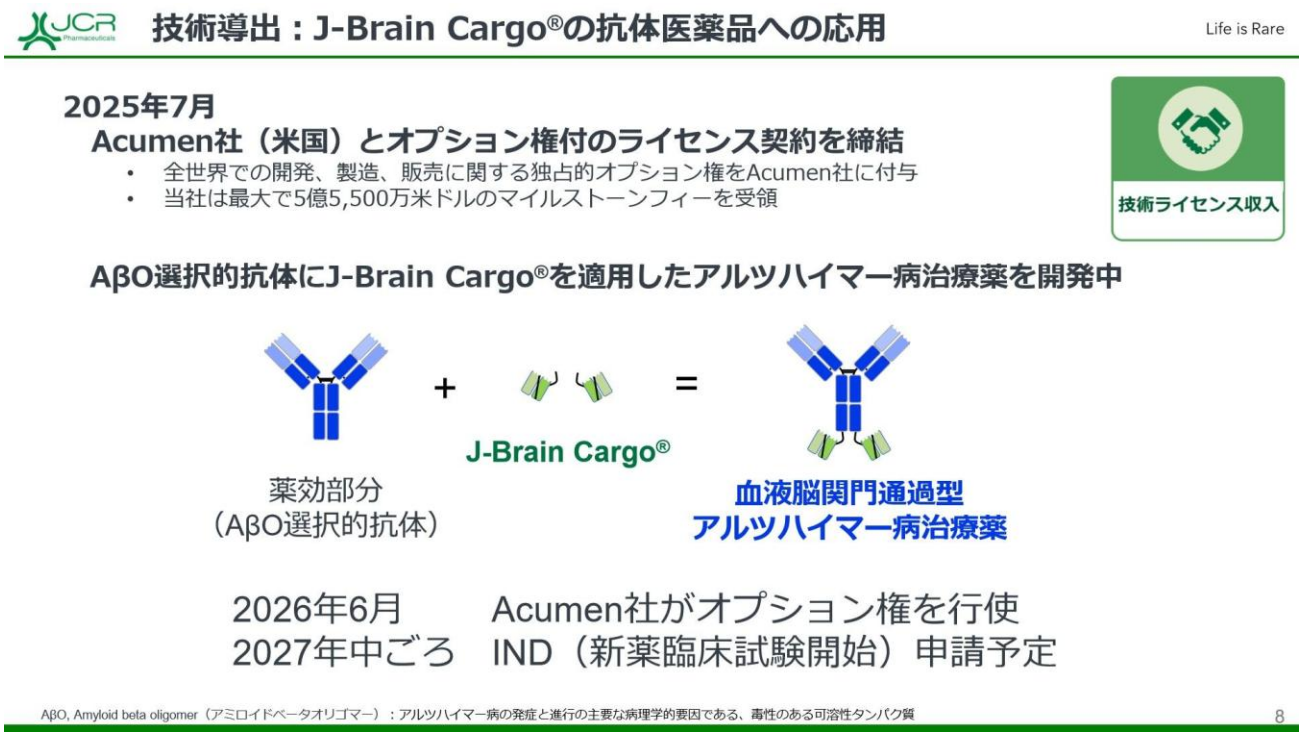
これは患者さんにとっても非常に大きなことだと思います。早くいい薬が使えるようになるということです。われわれにとっても非常に大きな、売上に対しての期待があります。

この資料の右側に計算式と数字を書いていますけれども、われわれはこの剤で約 350 億円の売上が、ピーク時に見込めるのではないかと考えております。現在 400 億円の売上の弊社にとっては、非常にインパクトのある数字、そして剤だと考えています。

この剤は海外で、先ほど申しましたように、既に承認をされているのですが、米国と欧州で適応範囲が異なります。米国では 6 歳以上の患者さん、欧州ではステロイドを併用する歩行可能な 6 歳以上の患者さん、つまり米国では広く、欧州では少し狭い適応になっています。

この試算の数字は、欧州の適応範囲、つまり狭い適応範囲を考えた場合の数字です。もし米国と同じ適応が日本でも取れた場合には、よりアップサイドが見込めるのではないかと考えています。

今お話ししましたように、海外のデータでわれわれは申請をしていくわけですけれども、それとは独立して、そして並行して、日本で日本人の患者さんを対象に臨床試験を開始しました。これはトータル 20 名の患者さん、10 名の歩行可能な患者さん、そして 10 名の歩行不可能な患者さんを、組み入れて、既に開始をしております。投与も開始をしています。



二つ目の成長ドライバーである技術ライセンス収入に関して、J-Brain Cargo 技術の抗体医薬品への応用の例になります。

2025 年の 7 月に、われわれは Acumen 社と、抗体医薬に関してのライセンス契約を締結しました。その抗体医薬は Acumen 社が開発をしているアミロイドβの抗体、アルツハイマー病を対象にした抗体医薬になります。

彼らはその抗体を、臨床開発の段階まで進めていたのですけれども、昨今の血液脳関門通過技術を適用した抗体医薬の開発、そういった競合状況を鑑みて、われわれと一緒に BBB 通過型の新しい抗体医薬の開発をしたいということで、一緒に進めてきました。

2025 年の契約締結以降、両社が協力をしていろいろな動物試験を繰り返していきまして、そこで非常にいい結果が得られたということで、2026 年の 6 月に Acumen 社がオプション権を行使しています。また、海外の学会でも Acumen 社が、その結果を既に発表しています。

今後は、来年 2027 年の中盤頃に、Acumen 社がアメリカで IND の申請予定だと聞いております。

三つ目の成長ドライバー、海外収益について。まずはイズカーゴの、中東での展開に関してになります。

イズカーゴは皆さんご存じのとおり、2021 年に日本では承認をされていて、そして今、日本以外のグローバルの地域でフェーズ 3 のクリニカルトライアルをしている状況です。

世界には日本の販売承認をもって、臨床試験なしに承認が取れる国がいくつか存在をしています。そのような国に対して、日本での承認をベースに、その国での承認販売を目指していこうという活動の一環になります。

今回、この中東の 2 カ国、アラブ首長国連邦が 7 月、そしてクウェートが 10 月、承認を得ることができました。現地の Taiba 社という会社さんと一緒に協業して、それらの国々での販売を目指していきます。

同じく三つ目の海外収益のドライバーになります。

JR-141 のグローバルパートナーが決まりました。

冒頭で芦田も申しましたけれども、イタリアの Italfarmaco 社と、10 月 2 日に JR-141 のライセンス契約を締結しました。

先ほど冒頭に申しましたけれども、Italfarmaco 社からは、givinostat の日本権利を JCR が導入、そして JCR から、この JR-141 の海外の権利を彼らに導出します。彼らは米国・欧州・中南米において展開をしていくということです。JCR は JR-141 の製造、開発を担当します。

今後の JR-141 の欧米そして中南米での承認を見据えて、現在、Italfarmaco 社との連携を、さらに強化している段階にあります。

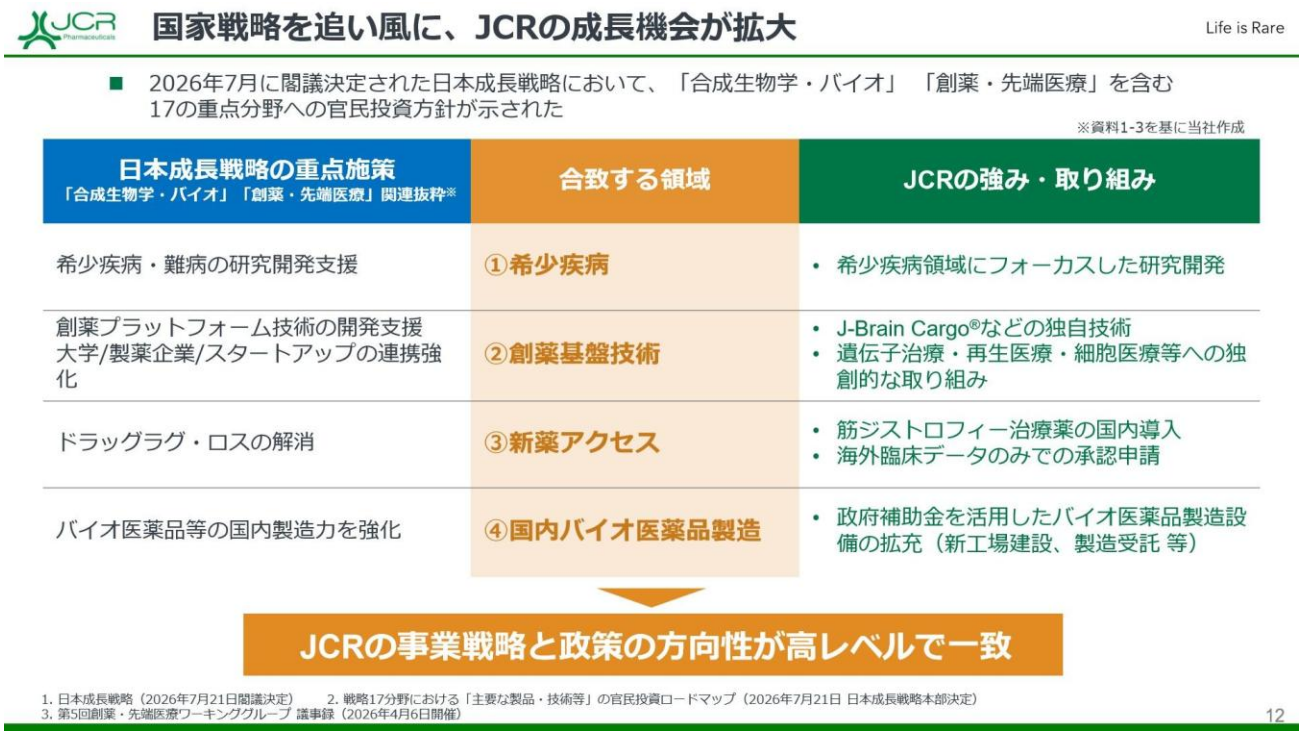
こちらは、現在のわれわれの開発パイプラインの一覧表になります。

一番上、JR-141、今お話ししたとおりです。Italfarmaco 社に導出が決まりました。

上から四つ目、JR-171、これに関しても今期中に導出ができるよう、今、契約交渉を進めています。

さらにその二つ下、JR-446、これに関してもグローバルフェーズ 1/2 の試験が始まり、9 月に患者さんへの投与を開始しております。

その他のパイプラインに関しても、順調に臨床試験が進捗しております。



これは、われわれのパイプラインの説明とは少し異なりますけれども、もう皆さんもご存じのとおり、2026 年の 7 月に 17 項目の日本成長戦略が発表されました。そのうちの二つ、バイオと創薬のところが製薬業界、われわれも含めてそこに上がってくるものかなと考えています。

それをブレークダウンした内容が左側の青い欄に書いていますが、希少疾病・難病の研究開発支援、創薬プラットフォーム技術の開発支援、ドラッグラグ・ドラッグロスの解消、バイオ医薬品等の国内製造力を強化ということで、われわれが強みとし、フォーカスしているものに、非常に一致しているものが多く含まれています。

今後は、この国家戦略を追い風に、われわれはさらに成長機会を目指して進めていきたいと考えております。

もう一度、この資料を再掲させていただきました。

本日は三つの成長ドライバー、それぞれについての進捗をお話ししました。どれも着実に先に進んでいることを、理解していただけたのではないかと思います。

また、本日はお話できなかった、この成長ドライバーの中にあるもので、まだ公表段階にないものも、いくつもありますので、それらが大きく成長することに期待していただいて、今後も引き続き弊社をご支援いただければと思っております。

私からは以上です。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]：これより、質疑応答に移ります。

山口 [Q]：シティグループ証券、山口です。

一つ目は、決算のところで研究開発費が通期で上振れそうだというお話がございましたが、これはDMD の開発とか、個別の要因があるのかどうか。

あと、それは他のところでコストを引き下げて吸収されるとお伺いしました。具体的にはどういったところで吸収されるご予定なのか、費用のやりくりについて最初に教えてください。

司会 [M]：ただ今のご質問には、経営戦略本部長の伊藤より回答いたします。

伊藤 [A]：開発費が想定よりも上振れるかもしれないということでございますが、基本的にはこれまでと同じように JR-141 の開発についての可能性ということでございます。

ただ、この第 2 四半期までのところで、研究開発費全体では若干の予算の超過でございまして、販管費全体をとってみますと、ほぼ予算どおりということでございます。

ですので、仮に研究開発費が若干上振れたとしても、販管費全体の中で吸収できるのではないかなと、また、そのようにしていきたいと考えております。

山口 [Q]：上振れ要因は JR-141 であって、DMD の追加試験ではなさそうですね。

伊藤 [A]：そこではありません。

山口 [Q]：二つ目は、DMD の薬の適応の可能性について、歩行可能か可能じゃないかというお話がございました。今の時点ではどちらか分からないと思いますけれども、歩行可能な方に絞っているというのは、何か要因があるんでしょうか。最初、そこで行って、その後、国内の試験結果を見ているとかというお話になっているんでしょうか。

司会 [M]：ただ今の質問に関しましては、エキスパートフェローの谷澤よりご回答申し上げます。

谷澤 [A]：谷澤でございます。

適応に関しましては、目標としているのは米国と同じ広い適応で、歩行可能・不能を両方含む形で今のところは考えております。

先ほど薗田から、資料の中でもご説明がありましたけれども、そういった適応になった場合には、売上高の上振れ要素が発生してくるかなと考えています。

山口 [Q]：現在では、アメリカと同じのを目指されているんですけれども、申請したときに、どっちかというのは開示可能になりますか。

谷澤 [A]：審査の中で、どちらになってくるかというところが決まってまいりますので、そこに関しては、申請時には少し開示は難しいのかなと思っております。

山口 [Q]：申請は両方で行くけれども、どうなるかは審査次第という部分がある、ということをおっしゃっているわけですね。

谷澤 [A]：そうですね。最終的な適応の記載の方法も含めて、最後の承認のギリギリまで審査が行われる認識ですので、それが固まりましたら開示になろうかと思います。

村岡 [Q]：モルガン・スタンレー、村岡です。

JR-141 の Italfarmaco とのグローバル提携の件です。一時金の金額は、3 カ月後の決算を見れば分かるので、そこは問題ないんですが、その先のランニングの経済条件、ここはぜひ開示していただきたいと思っています。なぜならば givinostat は、従来から薗田さん、ずいぶん経済条件はいいんだとおっしゃってくださっているので、そうすると JR-141 は、逆に経済条件が悪いんじゃないかと、ついつい勘ぐってしまうものですから。

今日教えてくださるのが一番うれしいですけれども、ぜひ開示していただきたい。その辺り大丈夫でしょうか。

司会 [M]：ただ今のご質問に関しましては、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：これはわれわれ、先方様との契約、お約束と、いろいろございますので、今ここで、それはいつ開示できますということは、なかなか申し上げることができません。

開示してほしいというお気持ち、要望というのは、よく理解はしておりますが、今すぐ、そして今後も約束はできないということで回答させてください。

村岡 [Q]：同じことで、これは本当に先々の、先々と言っても 1 年後のお願いですけど、JR-141 が発売された後、実際、アメリカの売上はなんぼですか、Italfarmaco は非上場だから数字分かりませんと言われても、とても困る。そこら辺は御社、最大限の努力はしていただけるんでしょうか。

薗田 [A]：そこに関してもわれわれは今、ここまでの数字をこれだけ出しますというお約束は、なかなかできないところではありますけれども、できる限りの数字を、皆様にお示しできるようにしていきたいと思いますし、数字を知りたいと思われている方が、たくさんおられると思いますので、最大限の努力をしたいと思います。

村岡 [Q]：もう一つ、これもうちに聞くんじゃなくて、相手に聞けって話かもしれないんですが。御社の筆頭株主さん、いろいろな圧力が起きているようです。筆頭株主であり、大事な事業パートナー、ここに大きな変化が起きるリスクって考えなくても大丈夫ですか。

司会 [M]：ただ今のご質問に関しまして、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：非常にわれわれには答えにくいといいますか、答えられない質問になります。

村岡さんが言われたとおり、その質問はぜひ、そちらの会社さんのほうにしていただければと思っております。

村岡 [Q]：もちろんそうですけれど、むちゃくちゃ重要で、御社にとっていろんな意味で重要なパートナーなので、御社をカバーしている私たちとしても、株主さんも、ぜひ知りたいところだと思うので、可能な限りいろいろな情報を開示してくださるととても助かります。これはお願いです。

薗田 [A]：そうですね。今、最低限言えるのは、現時点で、そういった変更の可能性があるかというと、何もないということだけは申し上げられます。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。

一つ目が、導出のタイミングについて。そこから、われわれは何を解釈できるのかということについてです。

JR-141 は、去年のうちから Italfarmaco さんと、いろんなお話をされていたと思います。そうした中で 10 月に実際、契約締結に至ったということで、この間どういったやり取りがあって、10 月に何が起こって決まったのか。単なる時間の経過とともに、そこに行き着いたのか、10 月、何かトリガーがあったのか。

また、JR-141 は基本的にはフェーズ 3 の結果、承認審査の結果を待って販売なので、ここで見つかってなくても、契約できてなくても、当面やることはあまり変わらないんじゃないかと思う。一方で JR-171 は、御社は従来から導出が決まって、導出先に開発をしてもらうというような話だったと思いますので、早く決めて、早く進めてもらう必要が、JR-141 以上に高いんではないかと思う。こちらがまだ決まらない理由について、どう理解すればいいか。

司会 [M]：ただ今のご質問については、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：まず 10 月に、このタイミングに何か意味があるのかというご質問だったと思います。

簡単な答えとしては、何もそういったことはないです。10 月を狙っていたわけでは決してありません。われわれとしてみたら、早く契約をしたかったということで、いろいろとお話を進めていく中で、結果としてこのタイミングになったということになります。

あとは、JR-171 のほうが、もっと気にする必要があるのではないか、早く締結したほうがいいのではないか、それができていない理由は何なのかということについて、これも同じく、早く契約をしたくて、いろいろとお話を進めている段階です。何か理由があって、われわれがブレーキをかけているわけでは決してなくて、われわれはアクセルを踏みながら、いい開発パートナーさんと協議をしています。

もちろん複数のポテンシャルのパートナーさんとお話をしていく中で、最終まで来て条件が合わないとか、特に JR-171 の場合は、開発していくのがそんなに簡単な疾患ではなくライソゾーム病の中では複雑な疾患なので、そういったところの理解がある程度一致をしていないと、なかなかうまく開発できないのではないかという、われわれ自身の考え。そういったものと合致したところと、一緒にやりたいこともあって、少し時間がかかっているというのが現状です。

橋口 [Q]： 2 点目が JR-446、今回始められたグローバルフェーズ 1/2 試験の位置づけについてです。こちらは米国の施設も含まれているようですけれども、米国ではフェーズ 1/2 のデータに基づいて、ライソゾーム病に対して Accelerated Approval を申請、あるいは承認されている事例も、他社さんのほうでは出てきています。御社のこの試験は、その可能性も視野に入れた試験になっているんでしょうか。予定症例数が 12 ということなので、少な過ぎるようにも思いますが、いかがでしょうか。

司会 [M]：ただ今のご質問には、開発本部長のアン・ベシェよりご回答いたします。

ベシェ [A]＊：ご質問は JR-446 の現状、そして将来についてだと思います。

試験については、順調に進んでおります。おっしゃいましたように、米国で最初の症例を集めております。臨床試験については、関連する規制当局と密に連携を取りながら開発をしておりまして、できるだけ意欲的なスケジュールで Accelerated Approval を活用し、さまざまな地域でも承認を得たいと思っております。詳細については戦略的な理由から、現在開示することができません。

山木田 [Q]：ジェフリーズ証券の山木田でございます。

1 点目、Italfarmaco 社とのディールについてです。まず 1Q のときに、契約金が一部 2Q にずれ込んだって話があったと思うんですけれども、これは今回のディールの話ですか。それともまた別のディールの話でしょうか。もし今回のものであっても別のディールであっても、2Q に出てこなかったのは、少し遅れているとは思うんですけれども、その遅れた要因が何かあれば教えていただけますでしょうか。

司会 [M]：ただ今のご質問に対しては、経営戦略本部長の伊藤よりご回答申し上げます。

伊藤 [A]：1Q のときに 2Q にずれ込んだというのが、この話だったのかどうかというのは、はっきり記憶していない部分もあるんですけれども、これも含まれていたんじゃないかなと思います。

なぜ遅れたのかにつきましては、先ほど薗田が申し上げましたように、いろんな要因があってということです。10 月 2 日でございますので、何とか半期の中でと希望しておりましたけれども、10 月 2 日になったということでございます。

山木田 [Q]：2 点目、JR-141 の今後の申請に当たって、Italfarmaco 社さんとの提携をしましたので、FDA との対話をするのは御社のみになるんですか。それとも Italfarmaco 社さんも一緒にやることになるんですか。だとするとデータの共有や、申請のストラテジーの議論とかで、少し時間がかかるのかなと思ったんですけれども、そういった時間がかかるような心配はしなくても大丈夫そうでしょうか。

司会 [M]：ただ今のご質問に対しては、開発本部長のアン・ベシェよりご回答申し上げます。

ベシェ [A]＊：もちろん今、最終段階に入ってきておりまして、申請に向けて作業は進んでおります。Italfarmaco はパートナーですから、シナジーという形で、彼らとこの申請のタイムラインの取り組みをしているところであります。両社ともかなりコミットし、このプログラムを成功に導こうとしております。その成功というのは、遅らせないということも含めての成功であります。

ですから、Italfarmaco 社がこのパートナーに入ってきたからと言って、遅れがあるとは考えておりませんし、今のところ Italfarmaco 社との関係性によってのインパクトがあるとは思っておりません。

水野 [Q]：東京海上アセットマネジメントの水野です。

JR-141 の治験患者さん、今走っているフェーズ 3 と、あと昔ブラジルでもやってたと思うんですけれども、観察期間が終わっている患者さんに対しても、基本的には JR-141 の治験薬は投与され続けていて、要は治験の中に残っているという理解でよろしいでしょうか。

司会 [M]：ただ今の質問につきましては、開発本部長のアン・ベシェよりご回答いたします。

ベシェ [A]＊：私の理解が正しければ、おっしゃっているのは、ブラジルでの治療症例だと思うんですが、こうした症例はもともとの試験期間を終了しております。地元のブラジルの法律にのっとりまして、追加治療のオファーがありました。そこでわれわれは長期のデータを、こうした症例に対して持っております。

この点については報告され、そして世界のシンポジウムで 2026 年に議論されております。症例は地元の規制にのっとりまして、治療を継続しております。

水野 [Q]：今のグローバルでやっているフェーズ 3 試験の、多分 105 週の観察期間、最終解析が終わった患者さんもいるんじゃないかなと思うんですけど、その方々も、まだ治験薬はそのまま投与されているという理解でよろしいですか。

ベシェ [A]＊：第 3 相試験の最初のフェーズは完了しております。全症例に関しまして、次の延長試験に入ることになっております。全症例が、現在第 3 相試験の最初のフェーズにいても、あるいは延長試験にいても、いずれにしても JR-141 継続投与を受けております。

水野 [Q]：NPS、Named Patient Supply でしたっけ、その他の売上に立っている患者さんだと思うんですけれども、この方々はまだ増えているということでよろしいのか。

あと、基本的に欧州にいる患者さんが多いという理解なので、正式に承認されれば、この患者さんたちは Italfarmaco に継承されるということでよろしいですか。

司会 [M]：ただ今のご質問につきましては、経営戦略本部長の伊藤よりご回答申し上げます。

伊藤 [A]：NPS の患者さんにつきましては、この数は、おかげさまで増加をしております。それだけ、この剤の有用性が広く認識されつつあるのかなと考えております。

ご理解のとおり、患者さんの多くは欧州にいらっしゃいます。Italfarmaco が商業化を始める、この剤を、商業的に販売を始めることになりましたら、その患者さんは基本的に Italfarmaco の販売品に移っていくと考えております。

川村 [Q]：野村證券の川村です。

グロウジェクトについて、進捗率がやや低くなっている背景を教えていただきたい。

あと、それが下期挽回できるものなのかについて、確認させてください。

司会 [M]：ただ今のご質問につきましては、経営戦略本部長の伊藤よりご回答申し上げます。

伊藤 [A]：グロウジェクトにつきましては、第 1 四半期の決算説明会のときにも言及させていただいたかもしれませんけれども、今年 3 月から 4 月にかけて、曜日の関係で、かなり出荷の間隔が空きました。そういうこともありまして、3 月の出荷が予定以上に多くて、その分、4 月、5 月は出荷が低調だったということがございます。その影響もございまして、今も予算に対して少しマイナスという状況でございます。ただ、新規の患者さんへの投与等につきましては、想定どおり進んでおりますので、下期、何とか挽回をしていきたいということでございます。

これが思ったよりも伸びていないんじゃないかというようなお話がございましたけれども、確かにウィークリーの製剤のシェアが、徐々に上がってきているということはございます。ただ、これにつきましても、日本小児内分泌学会から、ウィークリーの製剤に対して、SGA 性低身長症への使用上の注意も出されておりまして、安全性という面におきましては、われわれのデイリーの製剤は非常に高い評価をいただいております。その辺りもテコに、下期ぜひ挽回をして、予算どおりの売上を達成したいと考えております。

村岡 [Q]：モルガン・スタンレー、村岡です。

先ほどの橋口さんの質問だったかな、10 月に JR-141 のサインに至った経緯で、何かあったわけではないみたいなご説明が、薗田さんからあったんですけれど。確か 26 年、今年の春から夏に、36 人の中間データが出る予定だったと思うんですよね、JR-141 で。これを見た上でサインしなきゃいけなかった結果、ファーストクォーターでもなく、セカンドクォーターの、そこからデータがまとめて見ていたら 10 月まで遅れたんじゃないかと、私は推測しているんですが、そういうわけでは全くないということでしょうか。

司会 [M]：ただ今の質問につきましては、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：今、言われたポイントで、10 月にずれ込んだというわけではないです。ただ、それを見ていろいろと判断をしてというところもあるかもしれませんが、それが原因で彼らが引き延ばしたのではないかという質問の意図であれば、それに関してはノーです。

村岡 [Q]：そうですよね。もともと多分去年ぐらいから話しているときに、これは出てからにしようね、みたいな薄い口約束をされたのかなって推測したんですけれど、そういうわけでもないんですね。

薗田 [A]：はい。ありません。違います。

村岡 [Q]：もう一つだけ。JR-171 は、JR-141 が 2 日間遅れたからということで言いたいわけじゃないんですが、4 月以降にずれ込むリスクは、こちらは低いと思っていてよろしいでしょうか。

司会 [M]：こちらの質問につきましても、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：JR-171 に関しまして、これも今まで、もうすぐですと言いながら、なかなか決まっていないじゃないかというお叱りを受けそうですけれども、JR-171 に関しましても、非常に高い関心を持ってくださっている企業があります。そこと今、真摯にいろいろと話を詰めていっている段階です。今後、相手様のあることですので、絶対 100%ということはもちろんありませんが、これまでのいろんな会社さんとの対話をしてきた中で申し上げますと、今回の案件の確度は、私は非常に高いのではないかと考えております。

あとは 4 月 2 日にもしなったら、また遅れたではないかと言われてしまいますので、そうならないように、なるべく今期中に、このディールを完結させたいと思っております。

山口 [Q]：山口です。

Acumen のディールについてご説明がありましたけれども、来年の中頃、IND がございました。これによって取り交わされる額というのは、業績に影響があるような額なんでしょうか。まだそうでもないんでしょうか。

司会 [M]：ただ今のご質問につきましては、経営戦略本部長の伊藤よりご回答申し上げます。

伊藤 [A]：マイルストーンについては非開示ですので、申し上げることはできませんけれども、われわれの規模ですので、受け取れば、それなりに業績に影響する額だと考えております。

山口 [Q]：あと、Italfarmaco の間での提携が増えている。DMD の薬は、彼らが売っているのはよく分かるんですが、この LSD の領域でも、彼らは実績あるんでしょうか。あまりそういう印象はないのですが、そこはいかがでしょうか。

司会 [M]：こちらのご質問につきましては、社長の薗田よりご回答いたします。

薗田 [A]：山口さんがおっしゃるとおり、彼らは DMD のフットプリントは非常にありますが、LSD に関しては、この JR-141 を扱うのが初めてになると思います。

彼らは、希少疾患の領域に DMD で入っていったということで、そこに対して、いろいろなフランチャイズを今、立てていっているところです。それをうまく利用して、この LSD の領域にも展開をしていきたいと考えている。

逆に言うと、われわれも日本では LSD の領域をやっていましたが、DMD に関してはわれわれも新参者ですが、同じ小児科医領域ということで、われわれが LSD で培ってきたベースというのが非常に生きています。その逆を、彼らがこれからやっていくと見ていただけるといいなと思います。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。

簡単な質問です。その他の売上が、通期 45 億円の計画に対して 30 億円近く行っていますけれど、これは予定が前倒しになっているのか。下期も、上期と同じような売上が可能性としてはあって、通期では上振れの可能性があると見ていいのか。

司会 [M]：こちらのご質問につきましては、経営戦略本部長の伊藤よりご回答いたします。

伊藤 [A]：その他につきましては、先ほども少しお話ございましたけれども、業績にインパクトのあるものとしましては、イズカーゴの NPS、Named Patient Supply がございます。これは金額非開示ですけれども、だいたい「その他」の金額の 6 割ぐらいだとお考えいただければと思います。

先ほど患者さんが増えているのかとご質問いただきまして、増えているとお答えしましたけれども、予算を上回るペースで進捗をしております。通期でも、これは予算を超過することを期待しております。

司会 [M]：続きまして、水野様、よろしくお願いいたします。

水野 [Q]：一つはクイックな質問で、Taiba の中東の契約についてです。中東のテリトリーって基本的に日本の承認で行けるのか、それとも国によってはグローバルフェーズ 3 が必要なのか、その辺も、もしかしたら細かいことかもしれませんが、一応確認したいのでお願いします。

司会 [M]：ただ今のご質問につきましては、伊藤よりご説明をいたします。

伊藤 [A]：この地域につきましては、少なくともわれわれが契約の中で想定している国々につきましては、日本の製造販売承認で承認が取れるということで、今活動をしております。

水野 [Q]：2 問目、3 問目、これは薗田さんに質問です。

一つは JUST-AAV でしたっけ、これのマーケティング活動といったら、表現が違うかもしれないですけれども、これについての最近の活動で、何かアップデートできることがあれば。

もう一つは、これは薗田さんに、半年ごとに聞いている質問かもしれないですけれども、今回、国家戦略を追い風にというスライドがあるので、またお伺いします。

このドラッグロスの解消のところに国が力を入れているということで、今回の givinostat みたいな案件というのは、御社がピックアップできる確度が高まってきているのかなと。これについて何か、例えば国とかのほうからマッチングみたいな機会を設けたとか、そういう活動が追い風として強まってきて、今後、御社の成長戦略に反映される確度が高まっているのか。

薗田 [A]：二つ目の JUST-AAV に関して、ちょうど今、ドイツで欧州の遺伝子治療学会がやっていますが、そこでわれわれの研究者が発表をしています。

そこで発表しているのは、この JUST-AAV、脳に行って肝臓に行かないタイプにした JUST-AAV で、バッテン病という本当に希少な、重篤なライソゾーム病があるのですけれども、そのマウスを劇的に治しましたよという、そういったいろいろな最新データも含めた発表をしています。なので、サイエンティフィックには、非常にいい結果を社内で蓄積をしていって、それを発表していっています。

一方で、それがどうビジネスにつながっているのですかということもあるかと思います。これに関しては、どの会社さんに紹介をしても、非常に高く評価をしてくださいますし、非常に面白いと言っていただくケースが多いです。

ただ、この遺伝子治療に本気で参入しようと思う会社と、面白いけれどもなかなか参入しづらいという会社と、そこはよく分かれるなと思っています。なので、われわれの技術が、本当に遺伝子治療をやろうと思っている会社に、ピタッと届けることができると話は進みますが、それは行って話してみないと、なかなかどこまで本気でやっているのかが分かりません。

アレクシオン社さんの次に提携を、まだ発表できていないですけれども、現時点で複数の会社さんに非常に高い興味を持っていただいて、今、彼らの中で評価をしてもらっています。どうしても遺伝子治療となると、多くの会社さんがサルまで確認をしたいと、マウスのみじゃなくて。それはわれわれも非常にリーズナブルだということで、よく理解できるので、そうなると、どうしても時間がかかってしまうということになります。なので、もう少し待っていただければというのが回答です。

三つ目のドラッグラグ・ドラッグロス、これは何かしら政府から働き掛け等があるのかというご質問かと思いました。直接われわれに、スペシフィックに何かがあるというわけではないです。ただ、一般にいろんな募集をされていると思いますし、いろんな一般的な活動はされていると思いますし、その中にわれわれが入ることは十分にあり得ます。

あとは PMDA が、このドラッグラグ・ロス、特に小児の医療に関しての考え方、捉え方がだいぶ変わってきたのではないかというのは、やり取りをしていて肌で感じるところです。われわれが今やっている希少疾患で、かつ小児の領域に関しては、今後も日本が、そして PMDA が重点領域に置いてくれるのではないかという期待を持たせるような言動は感じています。

石井 [Q]：医薬通信社の石井です。

イズカーゴの件です。日本の承認で販売できる国というのは、中東以外にあるのか。もしあれば、これから何カ国ぐらい、こういう販売の仕方を考えておられるのか。

司会 [M]：こちらのご質問につきましては、経営戦略本部長、伊藤よりご回答いたします。

伊藤 [A]：今のご質問、日本の承認で取れる国が何カ国ぐらいあるのかということですけど、具体的に何カ国という数字は持ち合わせておりません。

まだ公表には至っておりませんけれども、今いくつかの国の企業さんと、この JR-141 についてお話をさせていただいております。いずれも日本の承認で、承認の取得が可能であるという国に関して、話し合いをしております。

ですから、交渉が成就した暁には、この国でこういう会社と、ということをお話しできると思います。

司会 [M]：恐れ入りますが、こちらで質疑応答を終了とさせていただきたいと思います。

以上をもちまして、ＪＣＲファーマ株式会社、2027 年 3 月期第 2 四半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. 音声が不明瞭な箇所に付いては[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をしてはなりません。

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。