2023-27年度中期経営計画
「*Reach Beyond, Together*」
一緒に、その先へ

2023年5月11日
ＪＣＲファーマ株式会社

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

トップメッセージ

我々は、テムセル®、イズカーゴ®などの世界初の新しいメカニズムを持った医薬品を世に送り出してきました。我々が確立し、さらに発展に注力している「J-Brain Cargo®技術」は、将来、今まで治療ができなかった疾患に対して大きな効果を期待できる医薬品を世界中の患者の皆さんに届けることができるものです。

我々は、バイオ医薬品の研究から製造まで一貫して対応できる日本では数少ない会社のひとつであり、自社でライソゾーム病を中心とした希少疾病の研究開発をさらに推進していきます。また、パートナーの協力を得ながら、研究開発の幅を大きく広げていきます。革新的なタンパク質医薬品や遺伝子治療などの開発を通して、一人でも多くの患者の皆さんとそのご家族のために「JCRでしか作れない医薬品」をお届けします。

これからの第二の創業期においても、日本発・世界初となる医薬品で、新しい価値を創造し続けるため、積極的に研究開発投資を行ってまいります。

代表取締役会長兼社長　芦田　信

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Contents

1. ありたい姿

2. 2023-27年度中期経営計画「*Reach Beyond, Together*」の位置付け

3. 2020-22年度中期経営計画「変革」の総括

4. 2023-27年度中期経営計画「*Reach Beyond, Together*」

   – 5つの取り組み

   – サステナビリティの取り組み

   – 2027年、そしてその先へ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

ありたい姿

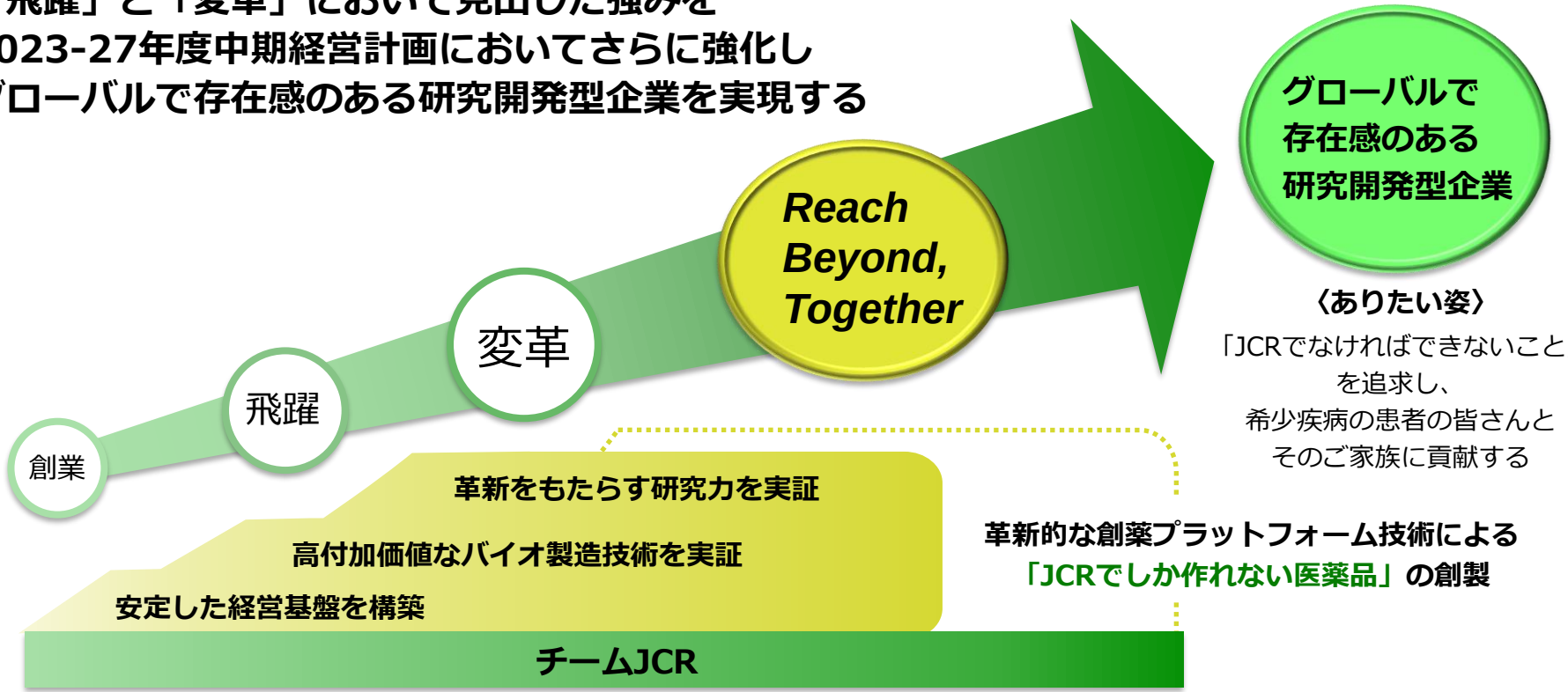
創業以来培ってきた独自の
「研究開発力」と「モノづくりカ」を結集し、
患者の皆さんが極めて少ない疾患であっても、
患者の皆さんとそのご家族のために、
「JCRでなければできないこと」
を追求していきます。

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2023-27年度中期経営計画「*Reach Beyond, Together*」の位置付け

企業理念　**医薬品を通して人々の健康に貢献する**

「飛躍」と「変革」において見出した強みを
2023-27年度中期経営計画においてさらに強化し
グローバルで存在感のある研究開発型企業を実現する



Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2020-22年度
中期経営計画「変革」の総括

変革

REVOLUTION
into the Future

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括①

安定した経営基盤のもと、
新たな価値創出のための戦略的な投資を続けながら持続的な成長を達成

	飛躍		変革			
	1年目 2015年度	**最終年度** 2019年度	**1年目** 2020年度	**2年目** 2021年度	**「変革」最終年度** **2022年度**	「変革」策定時 ガイダンス （2022年度目標）
売上高	174億円	247億円	300億円	510億円	**343億円**	320~360億円
営業利益	21億円	32億円	82億円	199億円	**49億円**	70~100億円
研究開発費 （対売上比率）	33億円 (19.2%)	59億円 (24.2%)	53億円 （17.8%）	71億円 （14.0%）	**88億円** **（25.6%）**	20%目安
設備投資額	12億円	52億円	39億円	106億円	**80億円**	—
社員数 （連結）	526名	667名	732名	817名	**879名**	—
配当性向	39.2%	36.8%	21.5%	18.8%	**65.9%**	30%目安

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括②

重要経営課題	総括
品質保証体制の 質・量的拡充	研究から商業生産までの品質保証体制の更新ー研究本部内にアナリティカルR&Dセンター新設 Data Integrityの向上ーLIMSシステムの導入（2023年稼働）
既存製品の持続的成長 のための取り組み	グロウジェクト®基盤強化 電動式成長ホルモン製剤注入器用アプリケーションソフトウェア「めろん日記®」の開発 新デバイスの開発
基礎研究・ 応用研究の拡充	17品目のライソゾーム病治療薬の開発 **J-Brain Cargo®技術の多様なモダリティへの応用ー複数の企業への導出を達成** 再生・細胞医療領域の社会実装を目指した合弁会社、AlliedCel株式会社を設立
生産・研究への積極的な 設備投資の検討・着手	複数品目の同時並行開発を可能にする原薬・製剤製造キャパシティの拡充 研究拠点拡充、**神戸サイエンスパークセンター竣工、新製剤工場用地取得、** **Mycenax Biotech Inc.（台湾CDMO）第三者割当増資の引き受け**
エビデンス構築を含む 製品戦略の立案	J-Brain Cargo®技術の価値最大化ーR&Dミーティングの開催 イズカーゴ® の長期臨床データの蓄積と開示ー学会発表、論文投稿の実施 小児領域に特化した、効率的な営業体制に再編ーアガルシダーゼ ベータBSを住友ファーマ社に販売移管
業務および組織構造改革 ・人財育成	機能的・効率的な組織に最適化、グローバル展開の基盤構築 **グローバルに活躍できる次世代リーダーを育成する「JCRアカデミー」設立** 生産性向上のためのITインフラを拡充、働き方改革実現に向けた柔軟な対応

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2020-22年度中期経営計画「変革」の総括③

成　果

J-Brain Cargo® 技術の実用化

- JR-443, JR-446, JR-479, JR-471 の開発着手
- 世界初の血液脳関門通過型技術を適用した**イズカーゴ®を日本で上市**
- **武田薬品**とJR-141共同開発及び事業化に向けた契約締結
- **武田薬品**と遺伝子治療に関する共同研究開発及びライセンス契約締結、非臨床研究のマイルストーン達成
- **メディパルホールディングス**と超希少疾病4疾患に対するグローバル事業化の契約締結
- **住友ファーマ社、アレクシオン・アストラゼネカ・レアディジーズ（アレクシオン社）、アンジェリーニ社**へのJ-Brain Cargo®技術導出

戦略的設備投資と高いバイオ生産技術の実証

- Mycenax社への出資による製造キャパシティ確保
- 神戸サイエンスパークセンター竣工
- アストラゼネカ社の**COVID-19ワクチン原液製造の受託と完遂**

グローバル展開の基盤構築

- **JCR Europe 設立（2022年）**
- **JCR USA 設立（2018年）**
- **JCR DO BRASIL 設立（2020年）**
- グローバル流通管理の欧州拠点をルクセンブルク大公国に設立（2022年）

将来的な意義

- J-Brain Cargo®技術を基盤とした様々な疾患領域への応用
- パートナリング戦略の加速による、ライセンス収入基盤の構築
- グローバル基準の商用生産を見据えた、サプライチェーンの構築
- 海外拠点を軸とした、本格的なグローバル活動の実現

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

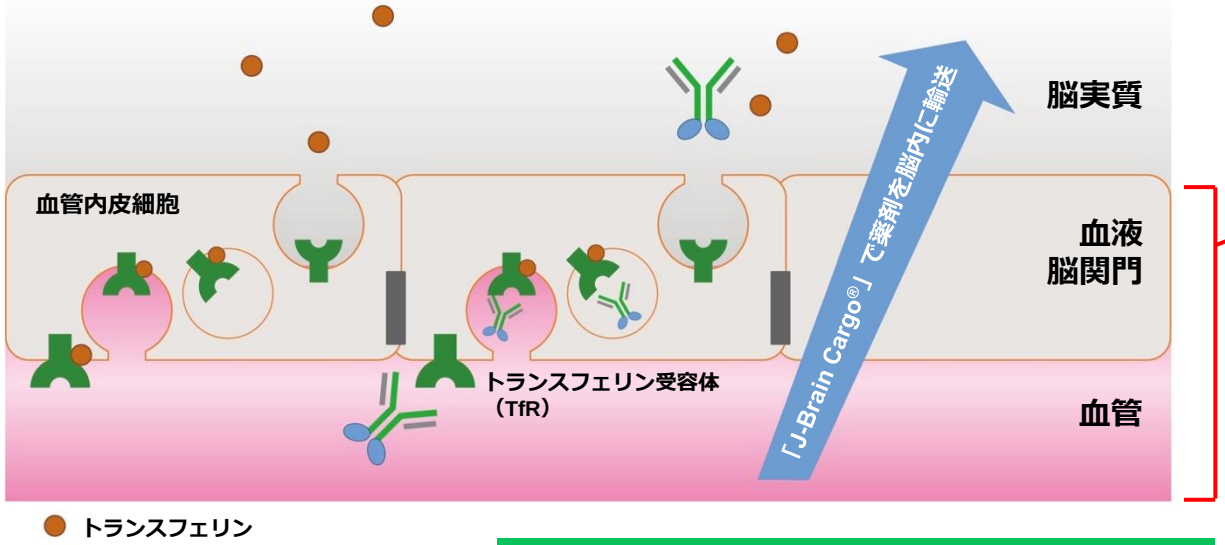
2023-27年度中期経営計画

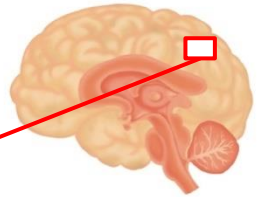
5つの取り組み

1. **革新的な基盤技術の創製**
2. グローバル基準の生産能力発揮
3. グローバル品質保証体制の質・量的拡充
4. 希少疾病品目の早期上市
5. 成長を支える人材育成

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

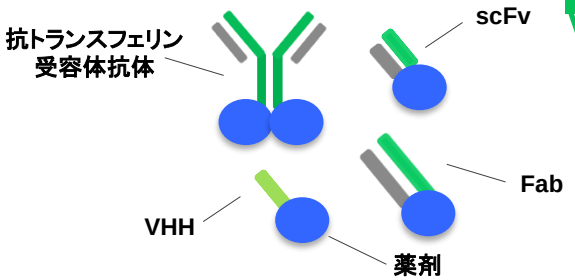
血液脳関門通過技術　J-Brain Cargo®





2021年
世界で初めて血液脳関門通過を
実証した酵素補充療法治療薬
イズカーゴ® を日本で上市

J-Brain Cargo® 適用治療薬



薬剤の特性に合わせた
最適な「J-Brain Cargo® 」分子を選択

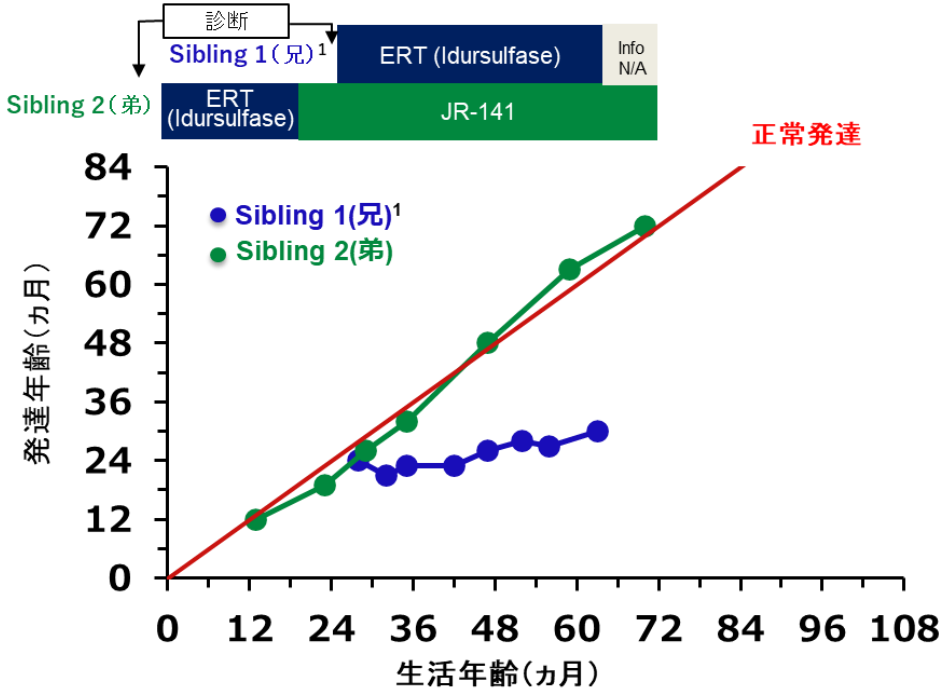
創業以来蓄積してきた、タンパク質工学の
ノウハウ

- 豊富な「J-Brain Cargo® 」のバリエーション
- 製造が難しいバイオ医薬品の創製

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

J-Brain Cargo®技術の持つ可能性 ーpabinafusp alfaの症例報告ー

同一遺伝子変異を持つムコ多糖症II型兄弟例での症例報告



Sibling2(弟)はpabinafusp alfa(JR-141)の治療後生後72カ月（2022年11月時点）まで、正常発達を認めた。（今後も長期データ取得予定）

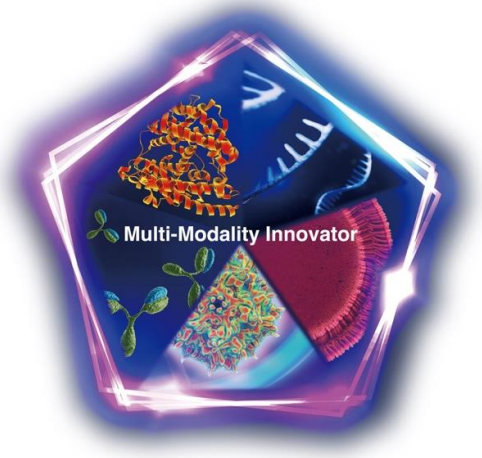
J-Brain Cargo®技術は血液脳関門を超えて中枢神経系に必要な薬剤を届ける基盤技術であり、様々な疾患への応用が期待できる

1. Based on Tomita K et al., JIMD Reports, 2021, 1-6

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

基盤技術の応用と様々な疾患への展開

J-Brain Cargo®技術を基本コンセプトとして画期的な治療薬を創製



J-Brain Cargo®

J-XXX Cargo

J-YYY Cargo

⋮

標的臓器	標的疾患の一例
脳	ライソゾーム病
眼	神経変性疾患
骨格筋	眼疾患
軟骨	骨系統疾患
その他	筋疾患

2020

住友ファーマ社と「J-Brain Cargo®」に関する協業（2015年） Sumitomo Pharma

2021

「イズカーゴ®」の承認（日本）

武田薬品と「JR-141」に関する提携 Takeda

2022

武田薬品と「遺伝子治療」関する提携 Takeda

メディパルホールディングスと「超希少疾病」に関する提携 メディパルHD

2023

アレクシオン社、アンジェリーニ社と「J-Brain Cargo®」に関する提携 ALEXION AstraZeneca Rare Disease Angelini Pharma

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

5つの取り組み

1. 革新的な基盤技術の創製
2. **グローバル基準の生産能力発揮**
3. **グローバル品質保証体制の質・量的拡充**
4. 希少疾病品目の早期上市
5. 成長を支える人材育成

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

強みとする「モノづくり」

西神工場

神戸工場

研究所

室谷工場

神戸原薬工場

バイオリサーチセンター

治験薬製造センター・
Cell Processing Center
(CPC)

新製剤工場
（2027年竣工予定）

神戸サイエンスパークセンター
（2022年竣工）

- 保有するサイトがフル稼働
- 15年以上のシングルユース技術を用いた製造経験
- 研究段階から製品までの統合された品質管理体制
- バイオ医薬品に強みのある品質保証体制
- 創業以来の「モノづくり」への想いを継承する、スキルの高い約400名の社員
- 神戸地区に集約した研究・生産拠点間の部門を超えた緊密な連携

サイト	生産能力
室谷工場　棟1	2x 400L、2x 80L
室谷工場　棟2	2x 2,000L; 2x 200L（シングルユース）
治験薬製造センター	1x500L, 1x200L（シングルユース）
神戸原薬工場	2x 2,000L; 2x 200L（シングルユース）
神戸工場	充填・包装
西神工場・CPC	再生医療等製品・基礎研究
神戸サイエンスパークセンター	4x 2,000L, 4x 200L（シングルユース）

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

グローバルサプライを視野に入れた取り組み

- 約400億円の設備投資・CMO投資により供給能力を拡大中
- 自然災害やパンデミック等の有事においても安定供給可能なレジリエンスを持つグローバルサプライチェーンを構築中

	2023	2024	2025	2026	2027
CMC研究 プロセス開発	希少疾病治療開発品への資源の集中投入				
原薬	増設したSUT*ライン(2,000Lバイオリアクター計8基）の本格稼働				
製剤	凍結乾燥機を備えた新製剤工場の建設及び商用稼働				
CMO	Mycenax、国内外CMO等の活用				
ロジスティクス	サプライネットワークの構築、ルクセンブルク大公国に拠点建設				

*Single Use Technology

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

「モノづくり」における挑戦

従来製品

国内市場

- 成長ホルモン製剤
- バイオシミラー製品
- テムセル®HS注

「安定供給への挑戦」

- 複雑な工程・厳格な品質管理
- 原材料の確保
- 適正利益の確保

希少疾病治療薬
ワクチン

国内及び海外市場を見据えた製品

- J-Brain Cargo®技術適用開発品：10以上
- 遺伝子治療製品
- ワクチン（政府の要請に応じて）

「未知への挑戦」

- 新しい技術・キャパシティの活用
- 海外当局によるGMP査察
- 開発スケジュールを遅らせない
- 極小ロットサイズでの生産

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

5つの取り組み

1. 革新的な基盤技術の創製
2. グローバル基準の生産能力発揮
3. グローバル品質保証体制の質・量的拡充
4. **希少疾病品目の早期上市**
5. 成長を支える人材育成

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

J-Brain Cargo®技術適用ライソゾーム病治療薬パイプライン

基礎研究	前臨床	臨床試験（第Ⅰ/Ⅱ相）	臨床試験（第Ⅲ相）	承認申請	承認取得
JR-194 （バッテン病乳児型） **クラッベ病** **GM1ガングリオシドーシス** **CLN2** **（バッテン病遅発乳児型）** **ゴーシェ病** **α-マンノシドーシス** **ニーマンピック病** **異染性白質ジストロフィー** **ガラクトシアリドーシス**	**JR-441** ムコ多糖症ⅢA型 （サンフィリッポ症候群A型） **JR-446** ムコ多糖症ⅢB型 （サンフィリッポ症候群B型） **JR-162** ポンペ病 **JR-443** ムコ多糖症Ⅶ型 （スライ症候群） **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） **JR-471** フコシドーシス	**JR-171** ムコ多糖症Ⅰ型 （ハーラー症候群等）	**JR-141** ムコ多糖症Ⅱ型 （ハンター症候群）		**JR-141** ムコ多糖症Ⅱ型 （ハンター症候群）

５品目の臨床試験入りを目指す

（候補）

JR-441, JR-446, JR-479, JR-471, JR-194, クラッベ病

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

5つの取り組み

1. 革新的な基盤技術の創製
2. グローバル基準の生産能力発揮
3. グローバル品質保証体制の質・量的拡充
4. 希少疾病品目の早期上市
5. **成長を支える人材育成**

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

人的資本経営の推進：人事戦略の展開①

人事戦略　「人的資本」への投資を進め、企業価値向上に貢献する人事戦略を確立する

戦略遂行に資する「動的な人材ポートフォリオ」の構築

- 現状の「人材ポートフォリオ」の把握
- キャリア採用による多様性確保、既存の人材群とのシナジー効果の創出
- 最適な「人材ポートフォリオ」の構築

ダイバーシティ＆インクルージョンの展開と組織浸透

- 多様な属性を持つプロフェッショナル人材の持つ「知見と経験値」のインクルージョンによる「研究開発」「モノづくり」の深化
- インクルージョンのマネジメントとモニタリング

個人と組織の活性化、エンゲージメントの向上推進

- 当社のありたい姿の社内外への積極的な発信による、エンゲージメント向上
- 社員の成長への支援、環境整備による組織全体の熱意、活力の増進

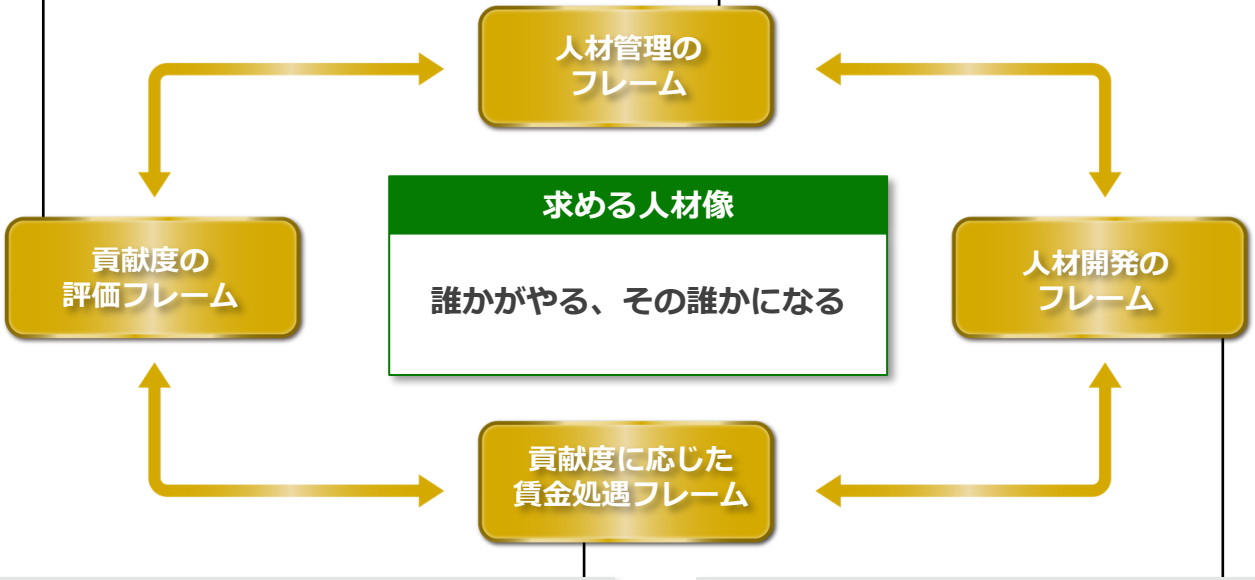
Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

人的資本経営の推進：人事戦略の展開②

「求める人材像」を実現する「仕組み」としての「人事マネジメントフレーム」を構築する

- 「貢献」を軸にした、職務成果・業績評価の仕組み設計
- 高度な課題へのチャレンジを評価する視点を設定

- 中期的なキャリア展開が望める職責と多様なステータスの設定
- 組織ミッションも考慮した、多様な役割フレームの導入



- 年功序列や役職をベースにした処遇体系からブラッシュアップした役割・貢献度を重視した賃金処遇のありかた
- 社員のライフワークバランスを考慮した賃金処遇

- キャリア自律を促進する仕組みの導入
- コンプライアンスプログラムの深化
- グローバル化進展によるダイバーシティマネジメント視点のプログラム強化

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Sustainability

サステナビリティへの取り組み

サステナビリティへの取り組み

目指すべき姿	RD・E・S・Gを基盤とする事業活動を通じたサステナビリティの実現

Rare Diseases

- 超希少疾病群の治療薬開発と新たな事業モデルの構築
- 革新的な医薬品を世界中の人々に届ける、医薬品アクセス向上への取り組み（Named Patient Supply）

Environment

- 事業活動を通じた環境負荷低減対策の検討・実施
- 医薬品の品質確保と安定供給を前提とし、環境に配慮した調達の推進

Society

- 基盤技術の創出により、アンメットメディカルニーズへの挑戦
- 「チームJCR」一人ひとりがそれぞれの場所で輝くことができるよう人材を育成

Corporate Governance

- 当社の成長にあわせたガバナンスの在り方を追求
- コンプライアンスの徹底とリスクマネジメント強化

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Rare Diseasesの取り組み

事業活動を通じ、誰一人取り残さない社会の実現を目指します。

当社が取り組むライソゾーム病

希少疾病

- JR-162 ポンペ病
- ゴーシェ病
- ファブリー病
- JR-171 ムコ多糖症I型（ハーラー症候群等）
- JR-441 ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）
- JR-141 ムコ多糖II型（ハンター症候群）
- JR-479 GM2ガングリオシドーシス
- GM1ガングリオシドーシス
- JR-446 ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）
- 異染性白質ジストロフィー
- クラッベ病
- CLN2（バッテン病遅発乳児型）
- ニーマンピック病

超希少疾病

- JR-194 CLN1（バッテン病乳児型）
- JR-471 フコシドーシス
- JR-443 ムコ多糖症VII型（スライ症候群）
- ガラクトシアリドーシス
- α-マンノシドーシス

世界中の患者の皆さんへ

JR-141 JCR Pharmaceuticals Takeda

JR-471 JCR Pharmaceuticals メディパルHD

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

サステナブルな社会実現に向けた挑戦

持続可能な医療の実現	人と組織の成長	社会課題への挑戦
事業活動を通じて創出された価値を最大化し、患者の皆さんを中心とした全ての人々に還元し続けます。 「研究開発」と「モノづくり」を軸に、患者の皆さんとそのご家族のアンメット・メディカルニーズに革新的な創薬で応えられるように取り組みを続けていきます。	**社員一人ひとりがキャリア展望をもって成長し、新たな価値を社会に還元できる組織を構築します。** 型にとらわれない独自の企業文化・コアバリューを大切にし、社員の豊かな創造力の育成、ジェンダー平等を実現する働く環境の充実を図ります。	**自然環境へ配慮した事業活動を実現します。** 限りある資源を有効活用することを、社員一人ひとりが自分ごとと捉え自発的な行動につながるように意識向上を図ります。

取り組み

研究者の継続的な支援

京都大学「本庶佑有志基金」及び「がん免疫治療研究基金」に対する寄付（自己株式割当）

グローバルで活躍できる医学研究者育成

「公益財団法人 国際医学研究振興財団」への支援

小児医療や保険医療分野支援

「母子保健奨励賞」への協賛

医療・福祉・介護支援

「医療功労賞」への協賛

患者さんとそのご家族に寄り添う医療実現

医療型短期入所施設「もみじの家」へ継続的な支援

グローバル・ヘルスへの貢献を目指す取り組み

非営利財団「Global Foundation for Life Sciences」の活動支援

グローバル人材育成

- 社員の成長を支援をする研修制度の充実
- 次世代グローバルリーダー育成（JCRアカデミー）

ダイバーシティ＆インクルージョン

- 性別を問わず社員が活躍できる環境づくり
- 障がい者雇用の推進
- 在宅勤務を含む多様な働き方の促進
  離職率（正社員）：2019年度2.5% / 2022年度2.8%
- 「平成30年（第3回）ひょうご女性の活躍企業」
  事業所内保育所の整備、男性の育児参加促進に向けた取り組み促進
- 「えるぼし（2段階目）」の認定取得
- 「ひょうご仕事と生活のバランス企業表彰」

カーボンニュートラルに向けた取り組み

- 太陽光発電の設置（研究所・神戸サイエンスパークセンター・本社地区建屋）
- 廃棄物の削減（マテリアルリサイクルが困難な古紙および廃プラスチックをバイオマスボイラー燃料として再利用）
- リサイクル素材を使用したレンタルユニフォームの採用
- LED照明への切り替え
- 営業車、社用車を、ハイブリッドカー、電気・水素自動車へ切り替え

	FY2015	FY2019	FY2022
社員数に対する女性比率	33.2%	37.2%	40.6%
女性管理職比率	6.2%	10.7%	12.5%
新卒女性比率	27.3%	31.8%	59.1%
男性育休取得率	0.0%	14.2%	66.7%

2027年、そしてその先へ

当社は、1975年の創業以来、独自の「研究開発」と「モノづくり」を進展させることによって成長を続けてきました。その大きな成果であるJ-Brain Cargo®技術の創出は、希少疾病領域のみならず、様々な疾患の治療に応用できる可能性があります。

さらに、J-Brain Cargo®技術に続く革新的なプラットフォーム技術を創出し、そこから生み出される医薬品を世界中の患者の皆さんとそのご家族に届け、治療に貢献することが、当社の使命であると考えています。

この使命を果たすべく、本中期経営計画では定量的なガイダンスを設けず、研究開発の進展による成長の可能性に断固として投資していきます。そして、新たなイノベーションの創出により、患者の皆さんとそのご家族、当社の社員および株主の皆様にとっての価値の最大化を目指します。

第二の創業期、成長への新たな挑戦が始まります。

ー患者の皆さんとそのご家族のためにー

Reach Beyond, Together　一緒に、その先へ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

Reach Beyond, Together
一緒に、その先へ

Reach Beyond, Together

一緒に、その先へ

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

注意事項

本資料中の開発見通し等の将来に関する記述は、当社が現在得ている情報をもとになされた当社の判断に基づくものであり、既知あるいは未知のリスクや不確実な要素を含んでいます。実際の結果は、様々な要因によりこれら将来に関する記述内容とは大きく異なる可能性があることをご承知ください。そのような要因の例としては、経済情勢の悪化、法律・行政制度の変化、新製品上市の遅延、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的財産権に対する侵害、重大な訴訟における不利な判決等がありますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は医薬品（開発中の物を含む）に関する情報が含まれておりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。また、当社の会社説明・事業説明に関する情報の提供を目的としたものであり、当社が発行する有価証券の投資を勧誘することを目的としたものではありません。

Copyright © 2023 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.