



## **JCRファーマ株式会社**

2025年3月期 第2四半期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）

2024年10月30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]	2025 年 3 月期 第 2 四半期決算説明会（プレゼンテーション・質疑応答）
[決算期]	2025 年 3 月期 第 2 四半期
[日程]	2024 年 10 月 30 日
[ページ数]	28
[時間]	19:15 – 20:18 (合計：63 分、登壇：35 分、質疑応答：28 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]	6 名 代表取締役会長兼社長 芦田 信 (以下、芦田信) 取締役 専務執行役員 営業担当 営業本部長 芦田 透 (以下、芦田透)

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



取締役 専務執行役員 研究担当 研究本部長

藺田 啓之 (以下、藺田)

上席執行役員 経営戦略担当 経営戦略本部長

伊藤 洋 (以下、伊藤)

上席執行役員 開発本部長

アン・ベシエ (以下、ベシエ)

経営戦略本部 経理部長

太田 義博 (以下、太田)

**[アナリスト名]\***

シティグループ証券

山口 秀丸

UBS 証券

酒井 文義

モルガン・スタンレーMUFG 証券

村岡 真一郎

みずほ証券

都築 伸弥

ジェフリーズ証券

山木田 雅

\*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

---

**サポート**

日本

050-5212-7790

米国

1-800-674-8375

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス

support@scriptsasias.com



## 登壇

---

**司会**：ただいまから、JCR ファーマ株式会社、2025 年 3 月期第 2 四半期決算説明会を開催いたします。

それでは初めに、本日の登壇者をご紹介します。代表取締役会長兼社長、芦田信。

**芦田信**：よろしくお願いします。

取締役専務執行役員、営業本部長、芦田透。

**芦田透**：よろしくお願いします。

**司会**：取締役専務執行役員、研究本部長、藺田啓之。

**藺田**：よろしくお願いします。

**司会**：上席執行役員、開発本部長、アン・ベシェ。

**ベシェ**：よろしくお願いします。

**司会**：上席執行役員、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**：最後に、経営戦略本部経理部長、太田義博でございます。

**太田**：よろしくお願いいたします。

**司会**：続きまして、本日使用する資料についてご説明いたします。本日使用する資料は、弊社ホームページに、10 月 30 日 16 時に掲載いたしました。お手元に資料が必要な方は、恐れ入りますが、そちらをご参照ください。

次に本日の説明会の流れについてご案内いたします。本日は、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全て終了した後、まとめてお受けいたします。質疑応答のお時間は約 30 分を予定しております。

本日は初めに、会長の芦田よりご挨拶させていただいた後、伊藤より 2025 年 3 月期第 2 四半期連結業績について、アン・ベシェより開発品目の進捗について、藺田より、多様なモダリティへの J-Brain Cargo の応用についてご説明いたします。

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



それでは、芦田会長、よろしくお願いいたします。

**芦田信**：芦田でございます。よろしくお願いいたします。

今期、上半期については、まず営業赤字、7億3,000万円、利益が6億9,000万円の赤字となりました。この原因は、ライセンス料が下期に入ってくるということで、上半期についてはライセンス料が全く入っておりません。

上半期は、我々の製品、販売している製品は非常に順調に販売が伸びておりまして、成長ホルモン、グロウジェクト、それにイズカーゴ、テムセル、全て我々の予想より販売が増加をしております。

我々は、昨年からずっとグローバルでの臨床試験をできる体制を作るべく、今まで臨床試験のチームを構築してまいりましたが、我々の臨床試験のチームがやっと出来上がりまして、これから我々のグローバルでの臨床試験が加速していくものと考えております。

我々、昨年まで、日本の臨床試験、そしてグローバルの臨床試験と、チームを分けていたわけですが、今年度から一つのチームとして、グローバルで臨床試験をやっていこうということで、臨床を加速しております。後ほど、この臨床については、アン・ベシェから報告をさせていただきます。

我々、今、非常に臨床開発費、研究開発費が増加しており、前期に比べて、年間で110億円から130億円に増加する予定でございます。

しかし、我々の製品の販売、そしてライセンス料は確実に見込めることから、通期では利益は予想の範囲内で確保できると考えております。ぜひ、今後ともよろしくお願いいたします。

まず、臨床の状況をアン・ベシェから説明をしていただきますので、よろしくお願いいたします。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



## 連結決算概要

(単位：百万円)

連結	2024年3月期		2025年3月期		
	Q2 YTD	Q2 YTD	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
売上高	24,272	16,657	△7,615	△31.4%	40.3%
売上原価	5,881	4,330	△1,550	△26.4%	41.6%
売上総利益	18,391	12,326	△6,064	△33.0%	39.9%
販売費及び一般管理費	11,493	13,066	+1,573	+13.7%	51.2%
販売一般管理費	5,957	6,489	+532	+8.9%	51.9%
研究開発費	5,535	6,576	+1,040	+18.8%	50.6%
営業利益	6,898	△739	△7,637	-	-
営業外収益	796	134	△662	△83.1%	-
営業外費用	568	1,016	+447	+78.7%	-
経常利益	7,126	△1,621	△8,747	-	-
特別利益	-	1,065	+1,065	-	-
特別損失	5	0	△5	△96.5%	-
税引前純利益	7,120	△556	△7,676	-	-
法人税等	1,867	134	△1,732	△92.8%	9.0%
親会社株主に帰属する 四半期純利益	5,253	△691	△5,944	-	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の 研究開発費	6,273	7,314	+1,040	+16.6%	48.6%

### 連結決算概要に関する補足説明

- ・契約金収入は下期の計上を見込んでおり、主に同収入の減少により、対前年同期比で売上高、利益が減少しました。
- ・第1四半期から引き続き、売上原価率（契約金を除く）は前年同期比で低下しました。
- ・研究開発費の増加は、主に海外での開発組織の整備および臨床試験の進捗によるものです。
- ・営業外費用には持分法投資損失、減価償却費、為替差損が計上されています。
- ・特別利益には新株予約権戻入益、契約解約益が計上されています。

(単位：名)

	2023年 9月30日時点	2024年 9月30日時点	増減数
従業員数（連結）	932	997	+65
対売上高	2024年3月期 Q2 YTD	2025年3月期 Q2 YTD	増減率
売上原価率	24.2%	26.0%	+1.8%
売上原価率 (契約金除く)	34.3%	26.0%	△8.3%
研究開発費率	22.8%	39.5%	+16.7%
営業利益率	28.4%	△4.4%	△32.9%

YTD: year to date (累計)

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2

伊藤：伊藤でございます。よろしくお願いたします。アンから開発について説明させていただく前に、私から、この第2四半期の連結業績についてお話をいたします。

まず、連結決算概要ですけれども、売上高は166億円でございます。営業利益がマイナス7億3,900万円、四半期純利益がマイナスの6億9,100万円という結果でございました。前年同期に比べますと、減収減益という結果でございました。

## 売上高内訳（連結）

(単位：百万円)

連結	2024年3月期		2025年3月期		
	Q2 YTD	Q2 YTD	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
グロウジェクト®	8,746	9,401	+654	+7.5%	51.4%
イズカーゴ®	2,556	2,845	+288	+11.3%	49.9%
テムセル®HS注	1,901	1,521	△380	△20.0%	54.3%
腎性貧血治療薬	2,674	1,764	△910	△34.0%	42.0%
エボエチンアルファ BS注「JCR」	1,046	962	△83	△8.0%	43.8%
ダルベオエチンアルファ BS注「JCR」	1,628	801	△826	△50.8%	40.1%
アガルシダーゼベータ BS点滴静注「JCR」	590	714	+123	+21.0%	64.9%
医薬品等合計	16,470	16,246	△224	△1.4%	50.6%
契約金収入	7,112	15	△7,096	△99.8%	0.2%
その他	689	395	△294	△42.7%	35.9%
売上高合計	24,272	16,657	△7,615	△31.4%	40.3%

※2024年3月期Q2の数値は、イズカーゴ®の売上高のうちNPSプログラムによるものを「その他」に含めたため、公表時の数値から訂正しています。

### 売上高内訳に関する補足説明

- ・グロウジェクト®は4月に4.9%の薬価改定がおこなわれましたが、販売数量が増加し、売上高は前年同期比7.5%増加となりました。
- ・イズカーゴ®の売上高は前年同期比11.3%増加し好調に推移しました。
- ・テムセル®の売上高は競合環境の変化により前年同期比20.0%減となりましたが、通期予想に対しては54.3%の売上進捗です。
- ・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です。
- ・アガルシダーゼベータBS点滴静注「JCR」についても、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です。
- ・契約金収入は下期偏重の予算です。
- ・その他の売上高減少は受託製造売上上の減少によるものです。

YTD: year to date (累計)

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

3

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

まず先に、売上の中身についてご説明申し上げます。先ほど芦田からも話がありましたように、グロウジェクト、イズカーゴ、テムセル、いずれも好調な推移でございます。

グロウジェクトは、売上が94億円。前年に比べて6億5,400万円のプラスで、7.5%の増加率で、予算に対しても51.4%の進捗でございます。

シェアにつきましては、41~42%といったところで、安定したシェアを維持しております。また、新規の患者さんの獲得等も好調でございまして、そういったことがこの数字に表れているということでございます。

次に、イズカーゴでございますが、売上は28億4,500万円。前年同期に比べまして2億8,800万円のプラスで、11%を超える増加率でございます。

こちら予算に対して、予算通りの進捗、予算を若干上回る進捗でございます。こちらは、今期の新たな獲得症例数は2例でございますが、この下期に入りまして、何例かの獲得をもう見込んでいるものがございます。また、この期首に投与をされていた患者様、全員が続けてお使いいただいていることも、この好業績の、売上好調の原因でございます。

投与時間の上限が撤廃されましたが、これについてもこれから、それが新しい症例の獲得に寄与してくるものが出てくると考えております。

次に、テムセルでございますが、15億2,100万円の売上で、こちら数字的には3億8,000万円マイナスでございますが、年間進捗率をご覧くださいますと、54.3%で好調な推移でございます。こちらは競合薬との関係もございまして、予算的には前年よりも低めに設定をしておりますが、好調な推移でございます。

それ以下、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、それぞれ販売を担っていただいておりますキッセイ薬品さん、あるいは住友ファーマさんの供給計画に準じた売上でございまして、こちらは年度を通じて凸凹いたしますけれども、最終的には予算の数字内には仕上がるものと考えております。

以上で、医薬品の売上合計につきましては、製品合計は162億円で、前年度比2億円のマイナス。契約金収入は、先ほども話がありました、1,500万円の計上でございます。その他の部分が3億9,500万円の売上で、こちらは前年ありました受託製造の売上減少により、2億9,000万円の減少でございます。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



# 連結決算概要

(単位：百万円)

連結	2024年3月期		2025年3月期		
	Q2 YTD	Q2 YTD	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
売上高	24,272	<b>16,657</b>	△7,615	△31.4%	40.3%
売上原価	5,881	<b>4,330</b>	△1,550	△26.4%	41.6%
売上総利益	18,391	<b>12,326</b>	△6,064	△33.0%	39.9%
販売費及び一般管理費	11,493	<b>13,066</b>	+1,573	+13.7%	51.2%
販売・一般管理費	5,957	<b>6,489</b>	+532	+8.9%	51.9%
研究開発費	5,535	<b>6,576</b>	+1,040	+18.8%	50.6%
営業利益	6,898	<b>△739</b>	△7,637	-	-
営業外収益	796	<b>134</b>	△662	△83.1%	-
営業外費用	568	<b>1,016</b>	+447	+78.7%	-
経常利益	7,126	<b>△1,621</b>	△8,747	-	-
特別利益	-	<b>1,065</b>	+1,065	-	-
特別損失	5	<b>0</b>	△5	△96.5%	-
税引前純利益	7,120	<b>△556</b>	△7,676	-	-
法人税等	1,867	<b>134</b>	△1,732	△92.8%	9.0%
親会社株主に帰属する 四半期純利益	5,253	<b>△691</b>	△5,944	-	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の 研究開発費	6,273	<b>7,314</b>	+1,040	+16.6%	48.6%

## 連結決算概要に関する補足説明

- ・ 契約金収入は下期の計上を見込んでおり、主に同収入の減少により、対前年同期比で売上高、利益が減少しました。
- ・ 第1四半期から引き続き、売上原価率（契約金を除く）は前年同期比で低下しました。
- ・ 研究開発費の増加は、主に海外での開発組織の整備および臨床試験の進捗によるものです。
- ・ 営業外費用には持分法投資損失、減価償却費、為替差損が計上されています。
- ・ 特別利益には新株予約権戻入益、契約解約益が計上されています。

(単位：名)

	2023年 9月30日時点	2024年 9月30日時点	増減数
従業員数（連結）	932	<b>997</b>	+65

	2024年3月期 Q2 YTD	2025年3月期 Q2 YTD	増減率
対売上高			
売上原価率	24.2%	<b>26.0%</b>	+1.8%
売上原価率 (契約金除く)	34.3%	<b>26.0%</b>	△8.3%
研究開発費率	22.8%	<b>39.5%</b>	+16.7%
営業利益率	28.4%	<b>△4.4%</b>	△32.9%

YTD: year to date (累計)

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

2

売上高 166 億円に対しまして、売上原価は 43 億円でございます。売上原価は 15 億円、前年度に比べてマイナスをしているということでございます。

右下の表をご覧くださいまして、その部分の売上原価率（契約金を除く）という部分がございます。こちらが 26%で、前年よりも 8%以上マイナスをしております。原価率が好転しているということでございます。

これは、一つにはプロダクトミックスの関係で、原価率の低いものの売上が上がって、原価率の高いものの売上がマイナスしたということでございまして、それが一つの要因です。もう一つは、生産現場の様々な努力によりまして、原価率自体が低減していることも認められます。これらの要因によりまして、売上原価率が好調に推移しているということで、これは第1四半期から引き続きの傾向でございます。

次に、販売費および一般管理費ですが、全体では 130 億円。

販売費・一般管理費が 64 億円で、前年同期比では 5 億円のプラスですけれども、こちらについては予算に対しましては、予算通りの進捗でございます。

次に、研究開発費でございますが、こちら 65 億 7,600 万で、前年比 10 億のプラスです。これは年度で、先ほどの話にもありましたように、約 20 億の増加を見込んでおります。この半期通しまして、予算通りの進捗でございます。増加の要因は、従前から申し上げていますように、主に海外での開発組織の整備および臨床開発の進展によるものでございます。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

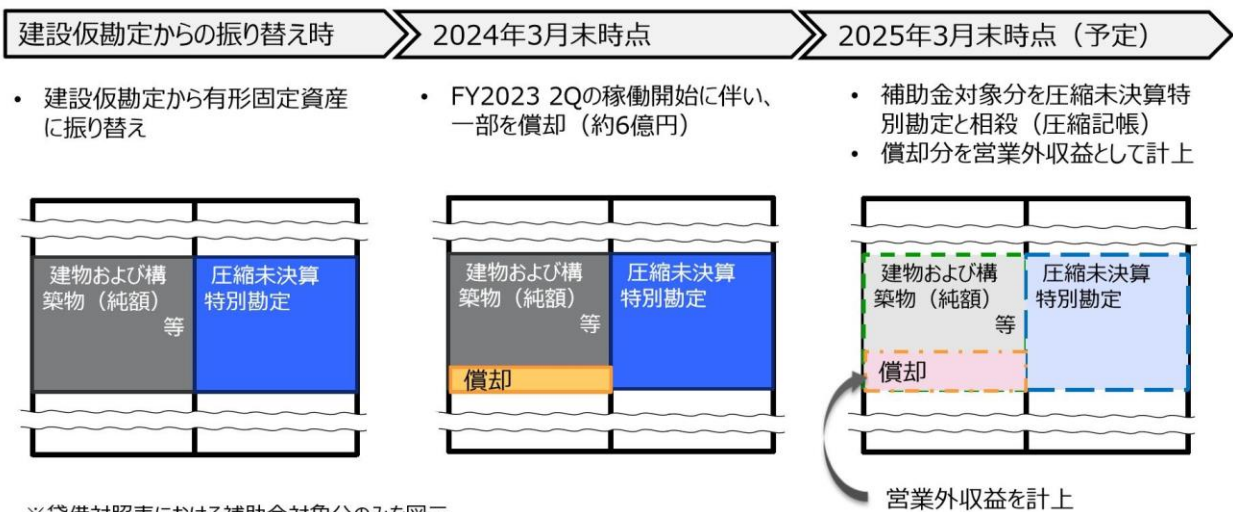


この結果、営業利益は先ほど申し上げましたように、マイナスの7億3,900万円です。その下、営業外収益1億3,400万円を計上しまして、営業外費用10億1,600万円でございます。

ここで、営業外費用の内訳としまして、これは短信を見ていただければわかりになりますけれども、持分法投資損失、減価償却費、あるいは円高による為替差損といったものが計上されております。この減価償却費の部分につきまして、少し説明を加えさせていただきたいと思っております。

**参考：神戸サイエンスパークセンター補助金に関する経理処理について**

神戸サイエンスパークセンターの減価償却費のうち、約3億円を販管費に約1億円を営業外費用に計上



こちらの Appendix の最後にある部分でございますが、神戸サイエンスパークセンターの原薬工場につきまして、補助金を厚労省からいただいております。

一番左の図で、建設仮勘定であったものを、工場が稼働開始しまして有形固定資産に振り替えております。これが去年の期中にございました。

昨年度の3月末の時点で、先ほど申し上げましたように工場が稼働しましたので、この有形固定資産の一部を償却しております。これが約6億円ございました。今期、さらに製造が続いておりますので、償却を続けております。

この期末に、補助金対象分を圧縮未決算特別勘定と相殺、圧縮記帳を行います。この時点で補助金が確定する、そのことをもって圧縮記帳を行います。この償却分を営業外収益として計上することになります。

**サポート**

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

それに対して、この減価償却費は、元々は、この営業外収益で将来、今期末に利益が計上されることの見合いとして、営業外の費用で減価償却費を計上しておりました。第1四半期はそのように処理しておりました。

今般、監査法人との間の話し合いの結果、神戸サイエンスパークセンターの減価償却費が、この半期で4億円ございましたが、そのうち3億円を販管費に計上し、1億円営業外費用に計上する処理をしております。

テクニカルなお話になりまして恐縮ですが、そのような処理をしておりますので、第1四半期と第2四半期で計上する場所が変わっておりますので、その点ご留意いただきたいと思います。

## 連結決算概要



連結	2024年3月期		2025年3月期		
	Q2 YTD	Q2 YTD	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
売上高	24,272	<b>16,657</b>	△7,615	△31.4%	40.3%
売上原価	5,881	<b>4,330</b>	△1,550	△26.4%	41.6%
売上総利益	18,391	<b>12,326</b>	△6,064	△33.0%	39.9%
販売費及び一般管理費	11,493	<b>13,066</b>	+1,573	+13.7%	51.2%
販売・一般管理費	5,957	<b>6,489</b>	+532	+8.9%	51.9%
研究開発費	5,535	<b>6,576</b>	+1,040	+18.8%	50.6%
営業利益	6,898	<b>△739</b>	△7,637	-	-
営業外収益	796	<b>134</b>	△662	△83.1%	-
営業外費用	568	<b>1,016</b>	+447	+78.7%	-
経常利益	7,126	<b>△1,621</b>	△8,747	-	-
特別利益	-	<b>1,065</b>	+1,065	-	-
特別損失	5	<b>0</b>	△5	△96.5%	-
税引前純利益	7,120	<b>△556</b>	△7,676	-	-
法人税等	1,867	<b>134</b>	△1,732	△92.8%	9.0%
親会社株主に帰属する 四半期純利益	5,253	<b>△691</b>	△5,944	-	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の 研究開発費	6,273	<b>7,314</b>	+1,040	+16.6%	48.6%

**連結決算概要に関する補足説明**

- ・契約金収入は下期の計上を見込んでおり、主に同収入の減少により、対前年同期比で売上高、利益が減少しました。
- ・第1四半期から引き続き、売上原価率（契約金を除く）は前年同期比で低下しました。
- ・研究開発費の増加は、主に海外での開発組織の整備および臨床試験の進捗によるものです。
- ・営業外費用には持分法投資損失、減価償却費、為替差損が計上されています。
- ・特別利益には新株予約権戻入益、契約解約益が計上されています。

	2023年 9月30日時点	2024年 9月30日時点	増減数
従業員数(連結)	932	<b>997</b>	+65

対売上高	2024年3月期 Q2 YTD	2025年3月期 Q2 YTD	増減率
売上原価率	24.2%	<b>26.0%</b>	+1.8%
売上原価率 (契約金除く)	34.3%	<b>26.0%</b>	△8.3%
研究開発費率	22.8%	<b>39.5%</b>	+16.7%
営業利益率	28.4%	<b>△4.4%</b>	△32.9%

YTD: year to date (累計)

経常利益はその結果、マイナスの16億2,100万円、特別利益として10億6,500万円を計上しております。こちらは新株予約権戻入益を計上しております。これは譲渡制限付株式報酬制度、これをストックオプションから変更しまして、そのことによります利益の計上で、基本的にはこれまでストックオプションを計上したときの株価と、今回、譲渡制限付株式を導入した際の株価の差に対応したものとご理解いただければと思います。その他、第1四半期に既に計上しておりましたが、契約解約益を計上しております。

この結果、当期四半期純利益につきましては、マイナスの6億9,100万円でございます。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



(単位：百万円)

	2024年 3月末	2024年 9月末	増減 ・ 主な増減項目		2024年 3月末	2024年 9月末	増減 ・ 主な増減項目
流動資産	57,581	56,307	計 △1,274 ・ 現金及び預金 △484 ・ 売掛金及び契約資産 △2,579 ・ 棚卸資産 +1,830	流動負債	30,135	34,133	計 +3,998 ・ 短期借入金 +7,312 ・ 未払法人税等 △1,534 ・ 未払消費税等 △1,818
				固定負債	15,615	13,438	計 △2,176 ・ 長期借入金 △2,200
固定資産	44,644	48,314	計 +3,670 ・ 有形固定資産 +1,713 ・ 投資有価証券 +2,963	負債合計	45,750	47,572	計 +1,822
				純資産合計	56,475	57,049	計 +573 ・ その他有価証券評価差額金 +1,863 ・ 新株予約権 △737
合計	102,226	104,622	2,396	合計	102,226	104,622	2,396

	2024年 3月末	2024年 9月末
自己資本比率	54.2%	54.1%

## 財務状態に関する補足説明

- ・ 固定資産増加の主な要因は、神戸サイエンスパークセンター新製剤棟の建設に伴う建設仮勘定増加および投資有価証券の増加です。
- ・ 流動負債増加の主な要因は、神戸サイエンスパークセンター新製剤棟の建設等に伴う短期借入金の増加です。

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

4

次にバランスシートについてご説明したいと思います。

この9月末の総資産は1,046億円でございます。そのうち純資産合計570億でございます。自己資本比率は54.1%、この3月末からほぼ横ばいでございます。

今回、解説させていただきます点としましては、まず固定資産で、有形固定資産が増加をしております。これは、神戸サイエンスパークセンターの新製剤棟の建設に伴うことございまして、建設仮勘定が増加をしております。

また、投資有価証券が増加をしております。この投資有価証券の増加でございますが、これは2年前に私どもが取得をいたしましたマイセナックス社、台湾のCDMO製造の委託先でございますが、この株式を取得いたしました。この一部を売却しまして、持分法適用からこの会社は外れました。そのことによりまして、投資有価証券として時価評価をされるようになり、投資有価証券が増加をしているということでございます。この増加の見合いは、純資産合計のところにあります、その他有価証券評価差額金でございます。

右側にいきまして、流動負債が増加をしております。短期借入金が73億円の増加でございますが、これは神戸サイエンスパークセンターの新製剤棟の建設に伴う短期借入金の増加、あるいはその他運転資金によるものでございます。

また、長期借入金マイナス22億円でございますが、これはその分が、1年未満に償還される、1年未満に返済をする部分ということで、短期に移っているということでございます。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

バランスシートの説明につきましては以上でございます。

最後に、本日自己株式の取得についてリリースをさせていただいております。こちらは、昨今の株価水準、あるいは政策保有株の対応等、様々な状況を考慮して決定に至ったものでございます。

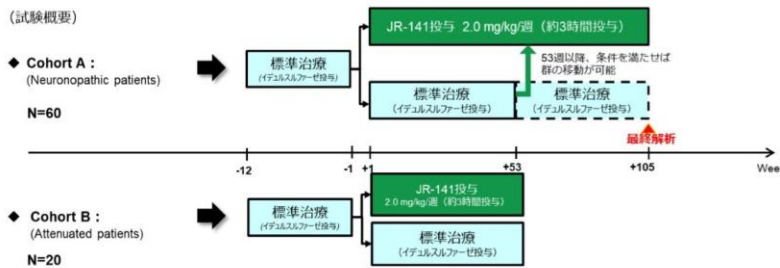
私の説明は以上でございます。

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



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

### 現在の状況



- 患者リクルート継続中
- 治験実施施設数 (2024年10月30日時点)  
**24 施設**  
**11カ国** (米国、欧州、南米)

概要	
目的	<ul style="list-style-type: none"><li>既存ERTと比較し、JR-141が中枢神経系の徴候および症状に対して有効であること</li><li>既存ERTと比較し、JR-141が身体的徴候および症状に対して同等の抑制を示すこと</li></ul>
評価項目	<ul style="list-style-type: none"><li>CSF中HS濃度、中枢神経症状 (認知)</li><li>全身症状 (肝脾容積、6分間歩行試験)</li></ul>
ClinicalTrials.gov Identifier	<a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04573023">NCT04573023</a>

- 予定通りに治験実施施設をオープン
- Cohort Aのリクルートが順調に進行中 (Cohort Bは登録完了)
- 可能な限り早期に申請できるよう規制当局と緊密に連携

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

6

ベシエ\*：皆様、こんばんは。アン・ベシエと申します。ここに来られて、そして開発品目の進捗についてお話ができますことを大変光栄に存じております。

まず、JR-141、リード化合物です。これは酵素補充療法です。血液脳関門 (以下、BBB) 通過型MPS II 型治療薬です。

グローバル第 III 相試験が現在進行中です。JR-141-GS31 試験、STARLIGHT 試験とも呼ばれております。ウェブサイトがございます。こちらもご参照ください。

試験としましては、Cohort が二つあります。一つの Cohort は、Cohort A、60 症例です。そして、こちらが神経症の患者、Cohort B、20 症例、こちらは軽症型の症例となります。両方の Cohort を無作為化、1:1 で、JR-141、それから標準治療に割り付けられます。

現状試験といたしましては、計画通りのリクルートが継続中です。全ての試験、実施施設でのオープニングもスピードは予定通りとなっています。以前にご連絡いたしましたように、Cohort A に関しましては 6 月に 60% の患者を登録してございまして、Cohort B のエンロールメントは完了して

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



おります。そして、当局とも密な連携をとっており、できるだけ早く申請ができるようにしております。

## 開発品目の進捗

### JR-441

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  
適応症：ムコ多糖症IIIA型

- **日本**：臨床第 I 相試験（JR-441-JP11試験）
  - ・ 治験計画届の受理、および当局による調査が完了
- **ドイツ**：臨床第 I/II 相試験（JR-441-101試験）
  - ・ 12例の目標症例数の登録を完了し、予定通りに進行中

### JR-446

血液脳関門通過型 遺伝子組換え $\alpha$ -N-アセチルグルコサミニダーゼ  
適応症：ムコ多糖症IIIB型

- **日本**：臨床第 I/II 相試験（JR-446-101試験）
  - ・ 治験計画届の受理、および当局による調査が終了
  - ・ 2024年度 下半期に第1例目への投与を開始予定

次ですが、JR-441 の進捗についてです。こちらは酵素補充療法で、MPS IIIA 型の治療薬で、2本の試験が走っています。

一つがドイツで行われており、こちらはもう既に昨年開始した試験です。第 I/II 相試験です。こちらにも計画通りに進行中です。目標症例数の登録を完了しています。そして、いずれの症例におきましても投与が続き、安全性の問題はありません。

日本に関しては、治験計画届（以下、CTN）に関して受理されて、完了しております。JCR といたしまして、まもなくこの試験についての進捗、更新情報を共有したいと思います。

JR-446 に関しまして、こちらは MPS IIIB 型の適応症を考えています。

CTN の受理が完了しておりまして、そして 2024 年度下期に第 1 例目への投与を開始する予定です。12 月前を予定しています。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

開発番号	適応症	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"> <li>~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定</li> </ul>
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"> <li>継続試験が進行中</li> <li>導出に向けて交渉中</li> </ul>
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)		治験計画届の手続き完了		<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 Ph3試験 FPI</li> </ul>
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) 治験計画届の手続き完了		<ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;Ph1/2&gt;</li> <li>目標症例数の登録完了</li> <li>2025年度 下半期 データ (1年) の解析完了</li> </ul>
JR-446	ムコ多糖症IIIB型 (サンフィリップ症候群B型)	治験計画届の手続き完了				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 下半期 Ph1/2試験 FPI</li> </ul>
JR-471	フコシドーシス					—

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

8

全体の開発のパイプラインです。

こちらが後期前臨床および臨床段階のパイプラインです。JR-141 は、今お話しいたしました、こちらは以前同様、予定通りに進捗しております。次のマイルストーンといたしましては、2027年度の承認をいくつかの主要地域で予定しています。

MPS I 型の延長試験、継続試験が現在進行中です。安定性の問題なく投与が続いています。また、パートナーシップについての活動も強化しております。

JR-142、こちらは成長ホルモン分泌不全性低身長症関連です。適応症を考慮して、CTN が終わりました。そして、今年度末までに第 1 症例目の投与が始まる予定です。

MPS IIIA 型は先ほどお話しした通りで、第 I、II 相試験については予定通りに進行しています。そして、1 年の臨床データについては、2025 年度下期にまとめる予定で、そして日本にしましては、まもなく新しい情報を共有できるようにしたいと思います。

MPS IIIB にしましては予定通りに進んでいます。CTN の手続きが完了し、まもなく最初の投与が始まります。

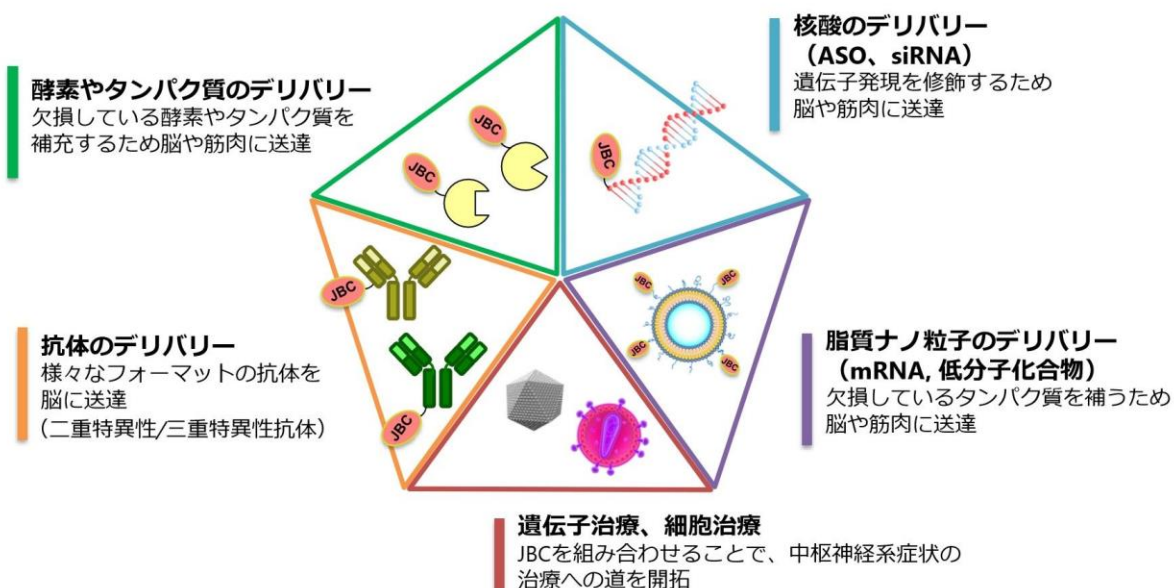
それから、フコシドーシスに関しては、現在メディパルとの協力を続けています。

以上でございます。ありがとうございました。

サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com





Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

10

**菌田：**菌田でございます。今日、私から、多様なモダリティへの J-Brain Cargo の応用、特に遺伝子治療への適用について紹介したいと思います。

皆さんご存知の通り、我々はライソゾーム病の酵素製剤に今注力しています。この五角形の中の左上の部分、五つの違うモダリティを示していますが、左上の部分、ここが今一番注力しているというか、自分たちのパイプラインとして、技術を使って、製品を開発しているのですけれども、技術そのものは他のモダリティにも使えるわけです。

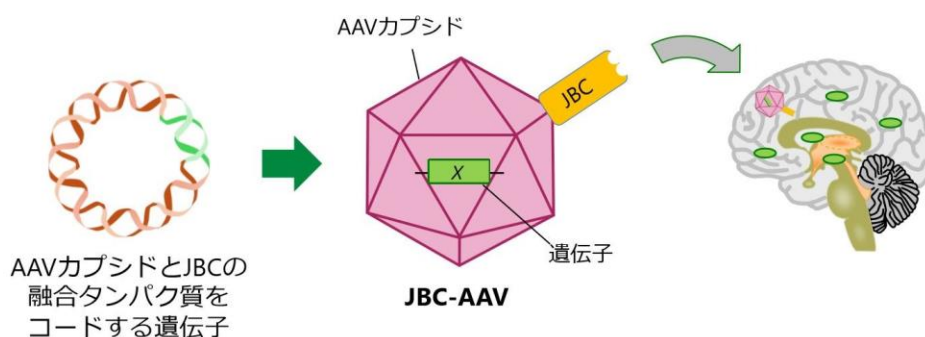
それが抗体医薬であったり、核酸医薬であったり、脂質ナノ粒子であったり、遺伝子治療であったりと。これ以外にももちろん可能性はありますが、この五つのモダリティに関して、研究所の中で、自分たちでマウスやサルを使った様々なデータをとってきております。

この中の遺伝子治療について、いろいろな技術が出てきておりますけれども、一番のニーズは特異的な部位に、例えば脳であったり、筋肉であったり、そういった部位特異的に遺伝子を届ける技術、これが求められています。

我々は、その J-Brain Cargo、脳にドラッグデリバリーできる技術を持っていますので、これと遺伝子治療の技術を組み合わせて、新しい遺伝子治療ベクターを作ろうという試み。それがうまくいっている、そういった紹介をしたいと思います。

**サポート**

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



- JCR独自の遺伝子治療技術
- AAVカプシドの一部にJ-Brain Cargo®タグを挿入

ここに、こういったベクターを我々が作ってきているのかということを示しています。

一番左側、これプラスミドの絵になります。プラスミドというのは、遺伝子を配置して、その遺伝子を細胞に入れるために作るものですが、ここにいろんな設計をするわけです。

この中に、AAVを作る遺伝子を入れます。その中に我々が持っている J-Brain Cargo の分子も一緒に入れるわけです。どこに配置をするか、こういった量を入れるかとか、そういったところがノウハウになるわけです。こういったプラスミドを使って、これをある細胞にトランスフェクション、細胞の中に導入するわけです。

そうするとその細胞がウイルスを作るわけです。その出てきたウイルスがこの真ん中の絵になります。ピンク色で形づくっているのが AAV、アデノ随伴ウイルス。オレンジ色で出ているのが、これが J-Brain Cargo の配列、ブレインへ、脳へ届けるためのタグのようなものです。

これはイメージ図として描いておりますので、実際はもう少し違う形をしているかと思いますが、イメージとしてはこのような形で。AAV の表面に、脳に行くためのタグが付いているような、そういった分子が作れるわけです。これを静脈内に投与しますと、このタグが目印になって、脳の中にこの AAV、遺伝子の運搬するウイルスを運んでくれる。そういったメカニズムです。

この新しい AAV 自体は、J-Brain Cargo を使っていますので、我々独自の新しい技術になります。このカプシドの一部に、表面にということになりますが、このタグを挿入する。ここがこの技術のミソになります。

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



- 従来のAAV9にはない新規のメカニズムにより、優れた脳への送達を実現
- J-Brain Cargo®は、治療薬として日本で承認された実績のある技術
- 特別な製造工程は必要なく、安定した生産が可能
  - JBCタグはAAVカプシドと同時につくられる（タグを後から結合させる必要なし）
- トランスフェリン受容体との結合親和性を調節し最適化が可能
  - ターゲットごとに最適なJBC-AAVカプシドを設計

これまでに培ってきたJ-Brain Cargo®技術やノウハウを応用

この技術を使った利点、こういったところがいいのかを書いています。

まずは、従来のAAV、いろんな種類がAAVにはあるのですが、AAV9が一番ブレインに、脳に行くと言われていますが、それとは全くまた別の、新しいメカニズムによって脳に届けることができます。

その届けるために使っている技術そのものは、もう既に日本で承認をされているイズカーゴに使われている技術ですし、他の品目で、今グローバルで治験をしています。そこで使っている技術と根本的には同じものです。同じ原理です。ですので、ヒトでバリデーションされていて、実績のある技術を遺伝子治療に応用していることが言えると思います。

もう一つは、AAVの遺伝子治療で大きな問題の一つが生産性になります。どうしてもなかなかたくさん作ることがまだできません。AAVは製造が非常にネックになります。もしとてもいいAAVを研究で作ったとしても、それが実際に、治験薬を作ったり商業生産ができないようなものだ、なかなかそれをビジネスに繋げていくことはできません。

ですので、非常に性能の高いAAVを作ることも重要ですが、同時に製造ができるAAVを作ることも非常に重要なポイントになります。我々は、この技術の開発当初から、その部分は押さえながら、つまり生産性が落ちることのないような分子を創製してきました。

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

また、先ほどの AAV の表面にタグをつけている図を見ると、後からつけるのかなと思われることもあるかと思うのですが、我々の技術は後からつけることもできるのですが、我々が今やっているのは、もうできてきたそのものにタグが付いている。

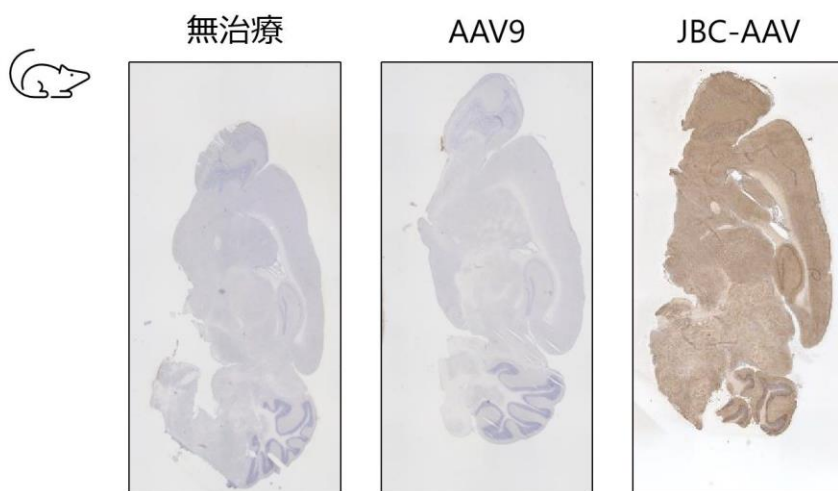
ですので、後からつける必要はありません。細胞から AAV が作られるのですけれども、その時点で完成体として出てきている。それを精製して実際に使うということです。その製造工程もこれまでの AAV の製造工程と同じような製造工程で作ることができます。

最後、我々いろんなタイプの J-Brain Cargo を今、創製してきています。酵素補充療法の酵素もいろんな種類があります。あとは、先ほど言ったような抗体医薬、また核酸医薬に適用する場合でも、いろいろなタイプの J-Brain Cargo を使いますので、アフィニティにいろんな差があったりとか、分子のサイズに差があったりとか、そういったいろんなタイプのもの、既に持ち合わせています。

ですので、そういったものを組み合わせることで、新しい AAV もいろいろと調節ができる、最適化ができるということです。これが我々の技術の大きな利点だと思っております。

## 非臨床試験データ: 免疫組織化学染色によるマウス脳の評価

Reach Beyond, Together  
一緒に、その先へ



### J-Brain Cargo®を適用することで、脳への効率的な遺伝子送達を実現

Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

第7回国際ライソゾーム病フォーラム, 2024

13

ここで、一つのデータをお示ししたいと思います。

これはマウスのデータです。マウスの脳全体の切片を作って、免疫染色という方法で、どこにどれくらい AAV が行って目的の遺伝子を発現しているのかを示しています。茶色に染まっているのがポジティブ、そこで我々が発現させたいものが発現している絵になります。

#### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



一番左が無治療、何も投与していないマウス。真ん中が AAV9 という先ほども申しましたけれども、これまでよく使われてきた AAV です。右側が、我々が新しく開発をした AAV、これ JBC というのは J-Brain Cargo の略で、JBC-AAV と呼んでいます。

これを見ていただくと一目瞭然です。無治療と真ん中の AAV9 に関してはほとんど染色されていないのに対して、右側の新しいベクターでは、脳全体に非常に強い強度で染色していることが見られるかと思えます。

このように、新しいベクターを使うことで、マウスにおいて、ブレインで非常に高い発現を見ることができていますし、今日はデータをお示ししませんけれども、サルでも同じような結果を既に得ております。

## 独自の技術が生み出すJCRの未来

Reach Beyond, Together  
一緒に、その先へ



Copyright © 2024 JCR Pharmaceuticals Co., Ltd. All rights reserved.

14

最初にお示しましたように、五角形、左下に書いていますが、いろいろなモダリティに J-Brain Cargo を使えるように研究開発を進めています。

今日お示したのは、そのうちの一例で遺伝子治療について示しましたが、我々の技術はブレインに、脳にいろんなモダリティをデリバリーするという。そして、J-Brain Cargo と同じベースとなるような技術を使うことで、脳ではない組織にもデリバリーできるということ。これを掛け算することで、いろんなモダリティをいろんな組織に届けることができるようになると思っています。

そうすると、使用範囲は非常に広いのですけれども、どうしても我々がカバーできる疾患とその技術でカバーできる範囲というのが、これは完全に一致はしないです、我々がカバーできる疾患のほうが非

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



常に小さくなりますので。カバーできるこの技術を、他社さんとのライセンス、パートナーリングをすることで、我々のビジネスの機会を広げていきたいと思っていますし、今現在そうしたコラボレーションも複数並行して走っています。

今回、新たにこの遺伝子治療の技術が完成に非常に近づいてきていて、いい結果が出ておりますので、これを自社のパイプラインとして今後使っていくことはもちろんですが、この技術を用いて、さらなるパートナーリングの機会を得ていきたいと思っています。

私からは以上です。

**司会**：ご清聴ありがとうございました。

---

#### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



## 質疑応答

---

**司会 [M]**：それでは、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の山口です。

一つ目の質問が、アメリカのFDAのライソゾーム病の審査スタンスの変化の、御社パイプラインへの影響です。

今日はJR-141、JR-171ともに現状のアップデートをしていただきましたが、今回のFDAのスタンスの変化を受けて、バイオマーカー試験があれば、ピボタルがなくても、おそらくアメリカ人のデータは必要だと思うのですが、申請を受け付けることになっていると思います。

御社としては現状、このJR-141、JR-171含めてどのようなインパクトが出るのか、開発の時間がどのくらい短くなるのか、概算ございましたら教えてください。

**ベシエ [A]\***：JCRといたしましては、こうした変化が規制当局であることは大変歓迎しております。柔軟性が高まります。そして申請、受け入れの閾値が下がったということはいいことです。希少疾患においては特に重要です。これはJCRだけではありません。全ての症例の患者さんにとって、このような疾患を持っている患者さんにとっては歓迎すべきことです。

JCRといたしましてはもちろん、緊密に規制当局と連携をし、どうすれば一番計画を適応できるかを考えております。それによって、できるだけ早く申請をしたいと考えております。こうした対話は今継続中でありまして、我々といたしましては、これが変化として起こった、規制の変更によって、具体的なスケジュールがこれから変わるようになっていくかと思っております。

ですから、申請はできるだけ早くしたいと思っております。もちろんこれに関しましては、規制当局との協力のもとでやりたい、FDAとの協力のもとでやりたいと思っております。

**山口 [Q]**：できるだけ早く申請するというのは25年も含まれていますか。場合によっては24年ですか。そこは具体的にはまだわからないですか。

**ベシエ [A]\***：現状、まだデータの解析中です。FDAとの対話については来年始めます。この対話でさらに予定がわかってくると思います。

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



**山口 [Q]**：冒頭にも会長兼社長様からございましたけれども、JR-171 の、あるいは他のものの提携の話がされていると思います。JR-141 についても武田から返ってきていることもありまして、まとめて出すお話もあったかと思いますが。

そのタイミングや時期についてはわからないと思いますけれど、この FDA の変化を受けて、提携サイドでも変化がありましたでしょうか。その場合はどういった変化がありますでしょうか。

**伊藤 [A]**：提携の話につきましては、今進めております。JR-171 につきましても、具体的にディスカッションを進めておりますし、また JR-141 につきましても、いくつかの会社から興味を持っていただいて話を進めております。

今般の FDA の変化につきましては、当然そういった交渉の中でいろんな話が出てくるということございまして、いろいろな話をしております。その中で注目点としましては、先ほどもご質問いただきましたように、この変化がどのようにタイムラインに影響するのかだと考えております。

詳細についてはお話しすることはできませんけれども、それぞれのアセットの導出については、今いくつかの会社と交渉中であることを申し上げます。

**酒井 [Q]**：UBS 酒井です。

まず今回 FDA の態度が変わった、態度というか方針が少しずつ変わってきているのはプラスだと思うのですが、一方で御社の開発のスピード。冒頭、芦田会長からグローバルで開発、申請、その他諸々グローバルで取り組む体制が整ったというお話でした。これは今、これからというお話で、今後、例えば今日ご紹介があったっていうか、いろいろな開発ステージの 8 ページの表ありますけれども、物事が加速して進んでいくということを示唆されているのか。何か変化が起きてくるものなんでしょうか。一朝一夕に開発って進まないと思いますけれども。ただ一方で研究開発費も増えるというお話ですけれども、その辺バランスをどうやってとっていくのかという点を教えてください。

**芦田信 [A]**：体制が整ったということは、臨床開発のグローバルでの開発が加速できるということです。今まで、グローバルでの開発に、海外で経験のある方たちを集めて、約 40 名集まったのですけれども、これで万全の体制ができたということで、今後非常に加速して臨床開発ができるということになります。

**酒井 [Q]**：シュミットさん退任されたと思うのですが、そうするとそれを含めて、新しい体制がこの 6 月以降から出来上がったということよろしいですか。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



**芦田信 [A]**：そうですね。今年4月ぐらいからこの体制がスタートしていますから。シュミットはサイエンスのアドバイザーとして残っております。

**酒井 [Q]**：それから、伊藤さんのご説明の中であった、私聞き逃したかもしれないのですが、この第1、第2クォーターまでに、イズカーゴですけれども、2例が獲得といいますか、治療に入られて、この後半セカンドハーフにも数例の患者登録が見込まれていて、今までの患者さん継続使用です。ドロップがなかったというお話されました。

そうすると、国内のピーク時の対象患者数って、これ中医協のデータと記憶していますけれども、110人ぐらいじゃなかったかと思うのですが、既に100人を到達しているというのは、前期終わったときのお話だったと思います。そうすると、国内の患者数は、当初の110人は超してくる可能性が高いとご覧になっているのか。

**芦田透 [A]**：芦田よりお答えさせていただきます。

ご質問いただきました通りで、上半期では、イズカーゴにつきましては75例です。今期は脱落症例がゼロということです。この下半期には既に数名の患者さんを予定しておりますので、今期の当社が目標としている症例数は、下期で達成できるのではないかと考えております。

**酒井 [Q]**：下期、そうすると今期の4Q時点での御社の目標は何例だったんですか。

**伊藤 [A]**：昨年が13例の新規の獲得でございました。今期もそれに準じた症例数を想定して営業活動を進めております。

また、先ほど冒頭、患者さんの数が何人ぐらいなのかというお話があったと思いますが、これ大体200名ぐらいの患者さんがいらっしゃるのではないかと、我々は考えております。また、これがいろんなスクリーニング等によって、新たな患者さんが見出されることもあるとは思いますが、現状そのように捉えております。

**酒井 [Q]**：中医協のベースからはかなり増えてきているということですね。

**伊藤 [A]**：先ほどおっしゃった数字から見ると、そういうことになると思います。

**村岡 [Q]**：モルガン・スタンレー、村岡です。

JR-141、アメリカのFDA申請のお話ですが、Denaliさんがearly 2025に申請予定と、この間Acceleratedで、バイオマーカーでという話を発表したと思います。Denaliと同時に申請できる、同じタイミングに申請できると考えた方がいいのか。いや、Denaliよりは申請のタイミングは遅れると考えた方がいいのか、どちらの可能性が高いでしょうか。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



**ベシエ [A]\***：先ほど申し上げましたように、今我々がやっていますのは、集まった今までのデータを全て検討しております。そして、FDA とともにあらゆる可能性を、申請に関してバイオマーカーベースで模索しています。Denali と同じか、あるいは遅れるか、それは FDA 次第であります。

また、もう一つ強調したい点としては、申請をすることと、承認を得ること、大きな違いがあります。これは Denali についても、またいかなる会社にとっても、Accelerated の承認で同じことだと思います。

**村岡 [Q]**：このイズカーゴ、アメリカでの商業面での質問ですけど、もし仮に競合よりも認可が半年遅れると、どのくらいコマーシャルにはディスアドバンテージと考えますでしょうか。

**伊藤 [A]**：その点については、いろんな考え方があるとは思いますが、我々、今考えておりますのは、今おっしゃった半年程度であれば、薬剤の優位性等々から考えて、それほどのディスアドバンテージにはならないのではないかと考えております。

**村岡 [Q]**：1 年だと厳しい感じですか。どのくらいまで許されうると考えているのか、教えていただきたいのですが。

**伊藤 [A]**：そこまでは具体的にお答えすることはできません。あとは実際に、薬剤の優位性、違い、そういったところによってくるものと考えております。

**村岡 [Q]**：もう一つだけ、JBC-AAV の遺伝子治療のベクターの件ですけど、この先の事業開発として、この技術を導出して、将来ロイヤリティを待つスキームがメインシナリオなのか。一緒にコラボレーションして、例えばライソゾーム病ディジーズのところで、一緒に遺伝子治療を開発していくパートナーをメインに想定しているのか。どちらでしょうか。

**藺田 [A]**：どちらもです。どちらかに寄っているわけではなくて、自分たちでパイプラインを創出して、自分たちで最後のゴールテープを切れるような疾患を手がけたいと思って、もちろん自分たちが作った技術ですから。

ただ、我々単独で技術を使い切れなれているのです。非常にいいベクターができたと本当に思っていますので、数字だけ見ると本当に世界のトップレベルだと思っています。ですので、このいいベクターをなるべく多くの患者さんに使ってもらうためには、一緒にやるパートナーさんがおられれば、非常にフレキシブルに対応したいと思っていますし、自分たちでできる疾患に関しては、もちろん自分たちで手がけていきたいと思っています。

**山木田 [Q]**：ジェフリーズ証券の山木田と申します。私からも 2 問お願いいたします。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com





1 問目、J-Brain Cargo の AAV の技術についてです。AAV、量を投与しすぎると作用が強くなるかと思いますが、そのため血液脳関門の透過性というところは、かなり大切になってくるかなと思っています。この透過性の技術については、イズカーゴのときと比べて、これは上がっているものなのでしょうか。具体的に、何かこういった技術が J-Brain Cargo の中でも上がっているというところがあれば教えていただきたいです。

**藺田 [A]**：イズカーゴと比べるというのが、なかなかちょっとぱっと数字でお答えできないんですが、同じメカニズムで、同じプラットフォーム技術を使っていますので、大体同じレベルだと考えていただいているかと思います。

ただ、AAV の場合は、本当に今の BBB を通る、脳に行くだろうと言われている AAV は、おそらくほとんど行ってないです。マウスだとある程度いい結果は出るのですけれども、なかなかヒトではそこまでうまくいかない。なので、ハイドーズが必要で毒性が出てしまって、なかなか広い範囲で使えないのが現状だと思います。

それと比べると、全く違う世界に多分なるといいますので、これは何倍かというところはなかなか数字でお答えにいくですけれども、新しい、我々が新しく作ったベクターを使うことで、今まで治療できなかった疾患、多くの疾患が治療候補になるだろうと考えています。

**山木田 [Q]**：2 点目、簡単にテムセルについてです。競合が出てきましたので、もう少し勢いよく下がるかなと思っていたのですが、下げが御社の想定より少なかった具体的な理由は何かございますでしょうか。

**芦田透 [A]**：テムセルにつきましては今ご質問いただいた通り、当初、競合品が今期出たことで、予算自体は約 8 割の予算で組んでおりましたが、二次治療で競合品が効かないようなもの、元々テムセルが強い消化管等の疾患につきましては、二次治療からまだテムセルがきっちり使われている。我々の予想、予算に対しても非常に進捗がいい状況で、これから徐々に下がってくるというよりも、非常に安定して今、テムセルのポジショニングは逆に取れているかなと評価しております。

**都築 [Q]**：みずほ証券の都築と申します。

この契約金収入 81 億円ってところがあると思うのですが、こちらの確度はどうなのかをお聞きしたかったです。JR-141、JR-171 が遅れたとしても、例えば技術導出みたいな形で補填ができるのかとか、または他のオプション権含めてあるのかとか。この契約金収入 81 億円の確度をまずお話しただけならと思いました。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



**伊藤 [A]**：この 81 億の数字につきましては、期首から申し上げていますように、堅めにと申しますか達成できるであろう数字を置いております。この数字を下期に達成できるように頑張っているわけですが、この数字についてはそういう設定でございますので、下期中には何とか達成できるものと考えております。

**都築 [Q]**：もう 1 点が、AAV カプシドの J-Brain Cargo のタグのやつですけども、専門誌とかで、カプシドの位置とか割合がコアだったり、肝毒性が回避できて、投与量も 1 桁下げられるのではないかみたいな話が出てきて、結構興味深かったのですが。

これは技術導出として、大手系が狙いそうなのか、バイオ企業のような形になりそうとか、この辺の話。スケジュール感も含めて、もう少しいただけると嬉しいなと思いました。

**藺田 [A]**：今のご質問難しいですね、お答えするのが。ただ AAV に興味を持っている会社さん、大手もバイオテックも含めてあります。

ご存知のように、一時期ほど AAV のフィーバーが、本当に盛り上がっていた時期は一旦終わっているかなとは思いますが、それでも彼らが待っているのは、新しいタイプの AAV です。今の AAV ではなかなか難しいのでフィーバーが終わってしまったと私は見ていて、新しいのが出てくると、先ほども言ったように、今まで対象にならなかった疾患が対象になってくる。そういった意味では、会社さん、大小関わらず、パートナー候補はたくさんいらっしゃると思います。

スケジュールという意味では、まだこちらでなかなかいつだと申し上げることはできませんが、実際に興味を持っていろいろと話をしたり、コラボレーションの手前のところ、こういったものかを、感度を確認してもらったりとか、そういったことは実際に既にやっています。

そんなに遠くない未来に、パートナーさんと一緒にいろいろできたり、また自分たちでも新しいパイプラインをこの技術を使って作り上げていこうと思っていますので、そちらも、いついつだというのはなかなか研究、また医薬品開発なので申し上げにくいところですけども。JCR 単独としては希少疾患をターゲットにやっていきたいと思っています。

**都築 [M]**：肝毒性回避していて、投与量 1 桁下げられたらすごく面白いと思うので期待しています。ありがとうございました。

**司会 [M]**：それでは最後のご質問、水野様、お願いいたします。

**水野 [Q]**：もやとした定性的なお答えで大丈夫ですけども、二つあります。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



8月と10月にAAVについて学会発表されていると思うのですが、リアクションについて何か教えていただけることがありますでしょうか。

あと、今度のR&D説明会でその学会発表について詳しく教えていただくと理解していますけど、その理解で正しいでしょうか。

**藺田 [A]**：7月と10月、学会で発表をしております。口頭とポスターとをやっているのですが、その後にそれを見た、それを聞いてということでの引き合いもありましたし、その学会その場でもいろいろ質問等たくさんありました。

皆さん、遺伝子治療をやっている人は、常にこの新しいベクターを求めていますので、そこは非常に皆さん興味を持っていますし、我々はそのタグをつけるところに強みがあって、そもそもタグをいろいろ持っているところも強みなので、いろいろ調整ができるわけです。

今は、我々そのJ-Brain Cargoで脳を対象にしていろいろと技術開発をしていますが、このタグは入れ替え可能なわけです。それによって違う組織にもターゲットできる。このコンセプトがぱっと理解できる方々にとっては、非常に魅力的におそらく映っているようで、そういったところの質問も数多くありました。

**水野 [Q]**：あともう一つは、今週末に追加発表あると思うのですが、ロシュのアルツハイマーの薬、ブレインシャトル、この技術も御社の技術と似ていると思います。どっちがいい悪いという話ではなくて、このロシュの技術で、アルツハイマーのかなりいいデータは出ていますので、これが御社にとって追い風になっているのか、向かい風になっているのか。その辺の定性的なコメントで構いませんので、お願いできますでしょうか。

**藺田 [A]**：私は追い風だと思っています。なぜかというとなかなかこのBBBのサイエンスをちゃんと理解してくれる人というか会社って、あまりないのです。

ボワッと理解するのは簡単ですが、じゃあそのBBBを通ることと、CSFに入ることはどう違うんだという質問に、ぱっと答える人はあまりいないです。なので、本当にBBBを越えるということが、CNSの治療薬を作るにあたってどれぐらい重要だと、データで示すしかないと思っていました。

我々はライソゾーム病で示してはいておりましたけれども、アルツハイマーでロシュがあのような形で示すことが、ライソゾーム病のような希少疾患ではないですので、相当インパクトがあったと思っています。

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



あのデータを見ると、あのドーズであれだけ他と比べて効くというのを皆さん目の当たりにすると、ブレイン、脳への医薬品開発を行うにあたっては、BBB の通過技術が必須だという、そういった認識が広がっていていると思います。

じゃあ、ロシュの技術でそれをしたい会社さんが皆さんカバーできるかという、それは決してそうではないですし、我々はこの BBB 技術のリーディングカンパニーの一つでありますし、我々はどっちかという分野に関しては、ライセンス、パートナーリングを強くすすめている会社ですので、ロシュの話を受けて、BBB の技術が必要だということでの引き合いも実際ありますので、私は非常に追い風だと受け止めております。

**司会 [M]**：恐れ入りますが、時間の都合上、以上で質疑応答を終了させていただきます。

最後に皆様へお知らせします。当社は、11月20日に当社が取り組んでいる遺伝子治療の研究に関する R&D ミーティングを開催いたします。ぜひご参加のほどお願いいたします。

それでは以上をもちまして、JCR ファーマ株式会社、2025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、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

---

## サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptasia.com



## 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、SCRIPTS Asia 株式会社（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。

---

### サポート

日本 050-5212-7790 米国 1-800-674-8375  
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

