



*Reach Beyond, Together*  
一緒に、その先へ

# 2024年3月期 決算説明会

2024年5月13日  
JCR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 北村（TEL 0797-32-1995）

## 23年度

**主力製品の売上伸長により、増収増益**

## 24年度

**グローバル臨床開発を支える組織体制の強化と開発投資の拡大**

- 臨床開発の人員を増強するとともに、JCR Europeを中心として日、米、ブラジルを一体として運営する体制を構築
- JR-141：グローバル第III相試験において中間解析に必要な登録を完了予定
- JR-441：第I/II相試験（23年10月投与開始）は順調に進捗
- JR-446：上期中に第I/II相試験を開始予定
- JR-171：導出に向けて交渉中

# 開発品目の進捗

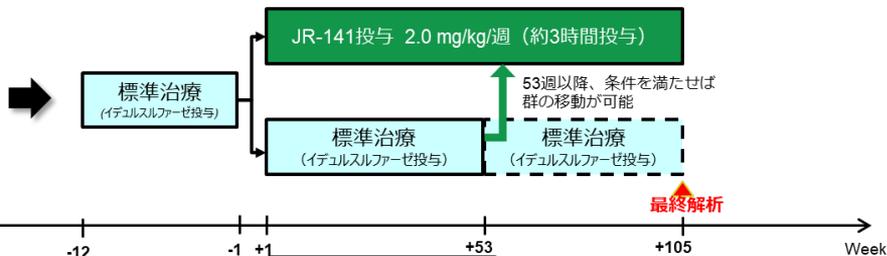
開発担当（代行）

JCR Europe B.V. General Manager Anne Bechet

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

(試験概要)

◆ Cohort A :  
(Neuropathic patients)  
N=60



◆ Cohort B :  
(Attenuated patients)  
N=20



### 概要

### 目的

- 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
- 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

### 評価項目

- CSF中HS濃度、中枢神経症状（認知）
- 全身症状（肝脾容積、6分間歩行試験）

Clinical Trials.gov

Identifier : [NCT04573023](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04573023)

## 現在の状況

- 患者リクルート継続中
- 実施施設数（2024年4月末時点）
  - 米国：5施設
  - 欧州：12施設
  - 南米：4施設
- ➡ 10カ国にて治験を実施中
  - 米国・欧州・ラテンアメリカに施設拡大予定

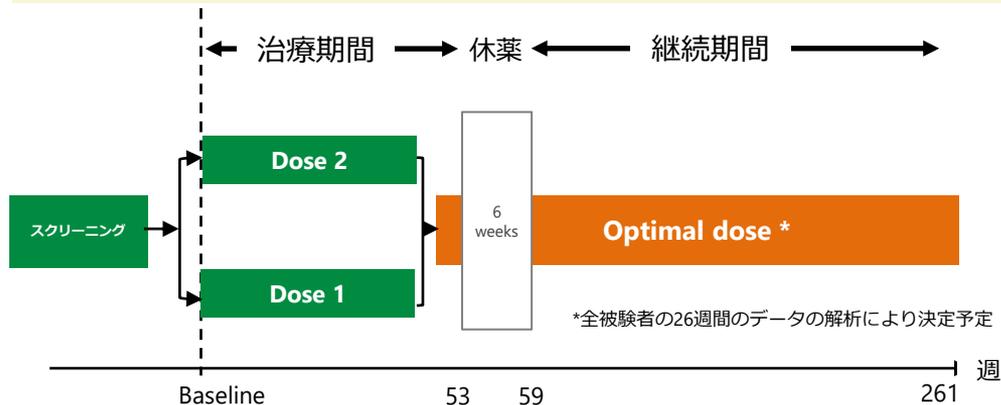
## これまでの実績

- 2018年10月：オーファンドラッグ指定（米国）
- 2019年2月：オーファンドラッグ指定（欧州）
- 2021年2月：ファストトラック指定（米国）
- 2021年10月：PRIME指定（欧州）
- 2022年2月：JR-141-GS31 第1例目被験者への投与開始
- 2022年12月：Rare Pediatric Disease指定（米国）

- Cohort Bについて20名の患者登録を完了
- Cohort Aについてもリクルートが順調に進捗中

## 2023年7月～：グローバル臨床第I/II相試験（JR-441-101試験）をドイツで開始

### JR-441-101試験 概要



#### 概要

**目的** 安全性、至適投与量、探索的有効性

**予定被験者数** 12例（年齢1歳以上18歳以下）

**Clinical Trials.gov** Identifier : [NCT06095388](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06095388)

### これまでの実績と今後のマイルストーン

- 2022年1月  
欧州委員会よりオーファンドラッグ指定
- 2023年7月  
ドイツ連邦共和国における試験開始承認
- 2023年10月  
第1例目となる被験者への投与開始
- 2023年12月  
FDAよりオーファンドラッグ指定
- 2024年度上半期  
組み入れ最終被験者への投与開始
- 2025年度下半期  
データ（1年）の解析完了

- 予定通りに試験が進行中
- 独立委員会による安全性評価を経て、小児患者のリクルートを開始

開発番号	適応症	前臨床	臨床試験	申請	承認	備考
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>2024年度第1四半期 中間解析に必要な症例数の登録完了予定</li> <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 完了				<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	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症	国内 Ph2 解析完了				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 Ph3試験</li> </ul>
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症	国内 Ph1/2 解析完了				<ul style="list-style-type: none"> <li>今後の開発計画検討中</li> </ul>
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）	Global Ph1/2				<ul style="list-style-type: none"> <li>2024年度 上半期 LPI</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（サンフィリッポ症候群B型）					<ul style="list-style-type: none"> <li>臨床試験開始準備中</li> <li>2024年度 上半期 Ph1/2試験 FPI</li> </ul>
JR-471	フコシドーシス					<ul style="list-style-type: none"> <li>検討中</li> </ul>

※上記表には、すでに臨床段階にあるもしくは臨床試験開始が近いプロジェクトを示した。

# 次なる技術革新

常務取締役 研究本部長 藺田 啓之

## 1975年の創業当初から培ってきた バイオ医薬品の高度な技術力とノウハウ



ワクチン原液製造(AZD1222)

J-Brain Cargo® 技術

バイオシミラー

幹細胞治療

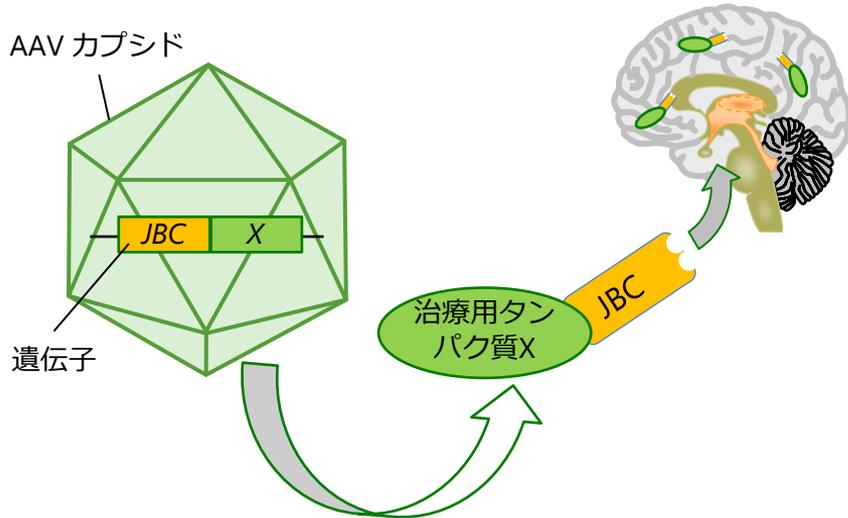
組換えタンパク質

生体由来生理化合物

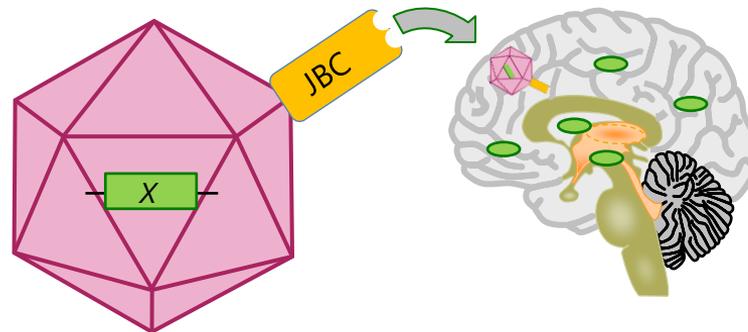
JCR独自の  
技術開発

Multi-Modality Innovator

JBC融合タンパク質を発現する  
AAVによる治療



JBCを表面に修飾したAAVによる治療

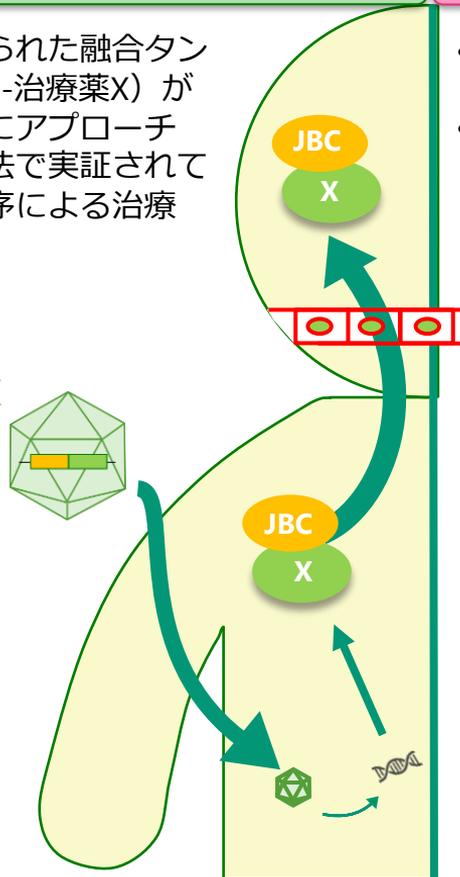


- J-Brain Cargo®を利用した**JCR独自の遺伝子治療技術**
- 標的とする疾患の特性に応じて、**治療戦略を選択することが可能**

## JBCを発現するAAVによる治療

- 体内でつくられた融合タンパク質（JBC-治療薬X）が中枢神経系にアプローチ
- 酵素補充療法で実証されている作用機序による治療

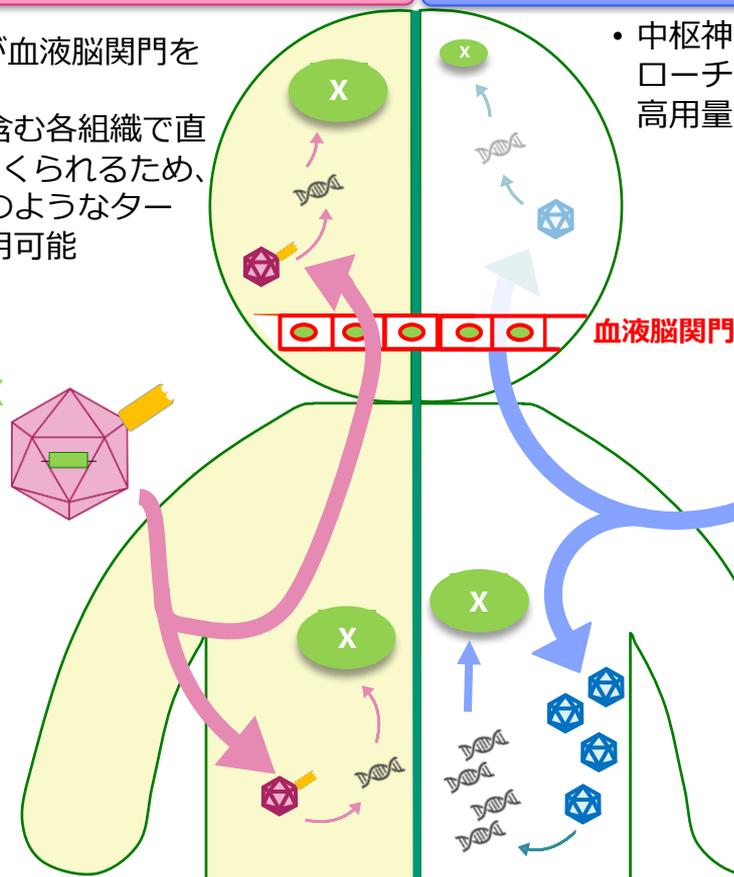
AAV/JBC-X



## JBCを表面に修飾したAAVによる治療

- JBC-AAV自体が血液脳関門を通過
- 中枢神経系を含む各組織で直接治療薬Xがつくられるため、膜タンパク質のようなターゲットにも適用可能

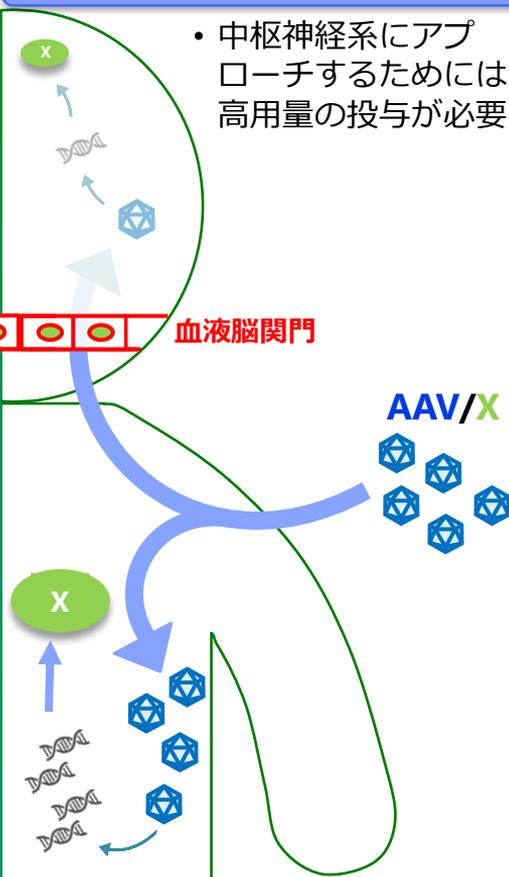
JBC-AAV/X



## 一般的なAAV治療

- 中枢神経系にアプローチするためには高用量の投与が必要

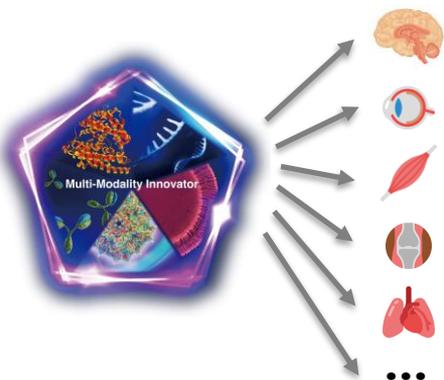
AAV/X



様々な疾患領域において  
画期的な治療薬を創製

技術導出の拡充  
共同研究のさらなる増加

J-Brain Cargo®を基盤とした  
広く応用が可能な技術



ライソゾーム病

神経変性疾患

眼疾患

骨系統疾患

筋疾患

# 2024年3月期 連結業績

上席執行役員 経営戦略本部長 伊藤 洋

(単位：百万円)

連結	2023年3月期	2024年3月期				
	実績	実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間達成率
			増減額	増減率		
売上高	34,343	42,871	+8,528	+24.8%	45,400	94.4%
売上原価	8,886	11,620	+2,733	+30.8%	12,400	93.7%
売上総利益	25,456	31,251	+5,794	+22.8%	33,000	94.7%
販売費及び一般管理費	20,480	23,719	+3,238	+15.8%	22,500	105.4%
販売・一般管理費	11,678	12,484	+806	+6.9%	12,800	97.5%
研究開発費	8,802	11,234	+2,431	+27.6%	9,700	115.8%
営業利益	4,975	7,531	+2,556	+51.4%	10,500	71.7%
経常利益	5,418	7,264	+1,846	+34.1%	10,000	72.6%
親会社株主に帰属する 当期純利益	3,772	5,507	+1,735	+46.0%	7,300	75.4%

# 売上高内訳（連結）

（単位：百万円）

連結	2023年3月期	2024年3月期				
	実績	実績	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間達成率
			増減額	増減率		
グロウジェクト®	12,261	17,913	+5,652	+46.1%	19,500	91.9%
イズカーゴ® ※	4,414	5,171	+757	+17.2%	5,200	99.4%
テムセル® H S 注	3,404	3,236	△ 168	△ 4.9%	3,300	98.1%
腎性貧血治療薬	4,696	4,652	△ 44	△ 0.9%	5,000	93.0%
エポエチンアルファ B S 注「J C R」	2,710	1,994	△ 716	△ 26.4%	2,200	90.6%
ダルベポエチンアルファ B S 注「J C R」	1,986	2,658	+672	+33.8%	2,800	94.9%
アガルシダーゼベータ B S 点滴静注「J C R」	964	1,661	+697	+72.2%	1,400	118.6%
医薬品等合計	25,741	32,636	+6,895	+26.8%	34,400	94.9%
契約金収入	6,546	7,413	+867	+13.3%	8,100	91.5%
その他 ※	123	2,820	+2,697	+2192.7%	2,900	97.2%
A Z D 1 2 2 2 原液	1,931	—	△ 1,931	△ 100.0%	—	—
売上高合計	34,343	42,871	+8,528	+24.8%	45,400	94.4%

※イズカーゴの売上高のうちNPSプログラムによるものは「その他」に含む

# 【2025年3月期 予想】 連結決算概要

(単位：百万円)

連結	2024年3月期	2025年3月期		
	実績	予想	前年同期比	
			増減額	増減率
売上高	42,871	41,300	△ 1,571	△ 3.7%
売上原価	11,620	10,400	△ 1,220	△ 10.5%
売上総利益	31,251	30,900	△ 351	△ 1.1%
販売費及び一般管理費	23,719	25,500	+1,781	+7.5%
販売・一般管理費	12,484	12,500	+16	+ 0.1%
研究開発費	11,234	13,000	+1,766	+ 15.7%
営業利益	7,531	5,400	△ 2,131	△ 28.3%
経常利益	7,264	4,600	△ 2,664	△ 36.7%
親会社株主に帰属する 当期純利益	5,507	3,700	△ 1,807	△ 32.8%

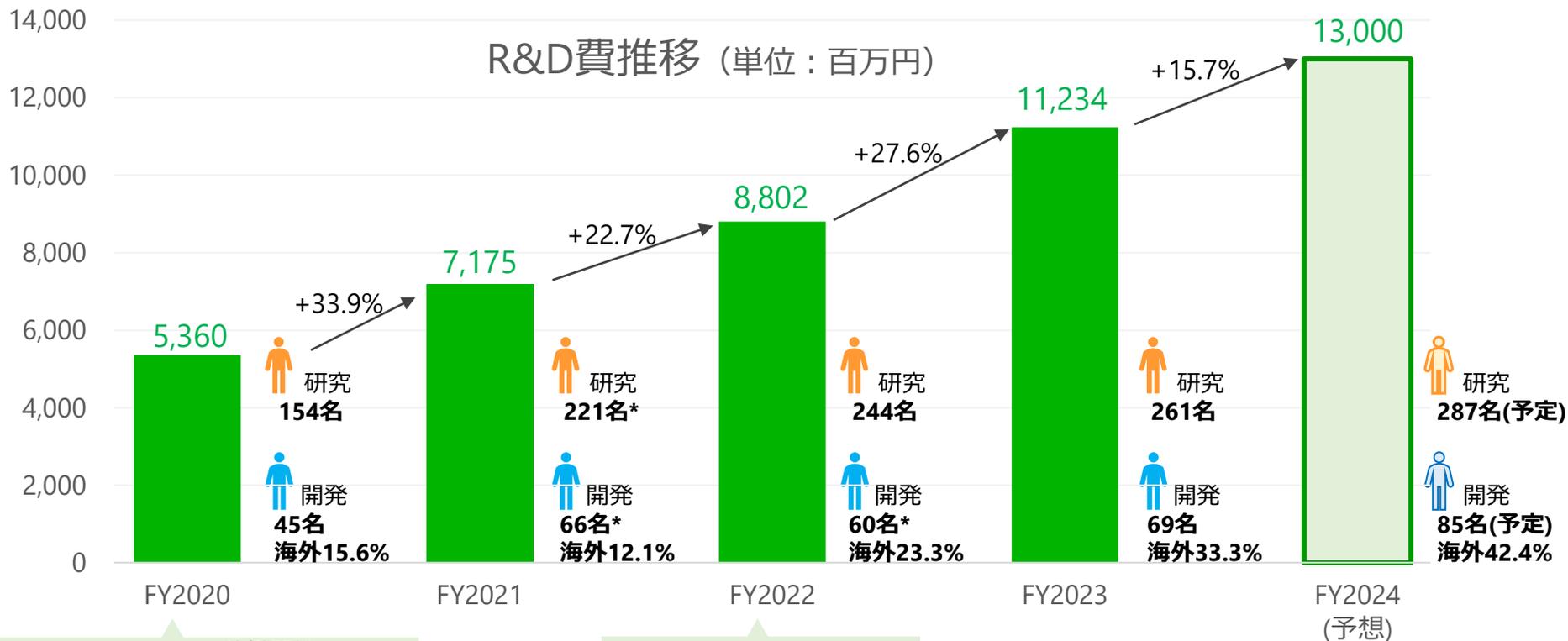
# 【2025年3月期 予想】 売上高内訳（連結）

(単位：百万円)

連結	2024年3月期	2025年3月期		
	実績	予想	対前年実績比	
			増減額	増減率
グロウジェクト®	17,913	18,300	+387	+2.2%
イズカーゴ® ※	5,171	5,700	+529	+10.2%
テムセル® H S 注	3,236	2,800	△ 436	△ 13.5%
腎性貧血治療薬	4,652	4,200	△ 452	△ 9.7%
エポエチンアルファ B S 注「J C R」	1,994	2,200	+206	+10.3%
ダルベポエチンアルファ B S 注「J C R」	2,658	2,000	△ 658	△ 24.8%
アガルシダーゼ ベータ B S 点滴静注「J C R」	1,661	1,100	△ 561	△ 33.8%
医薬品等合計	32,636	32,100	△ 536	△ 1.6%
契約金収入	7,413	8,100	+687	+9.3%
その他 ※	2,820	1,100	△ 1,720	△ 61.0%
売上高合計	42,871	41,300	△ 1,571	△ 3.7%

※イズカーゴの売上高のうちNPSプログラムによるものは「その他」に含む

## 特に、グローバルな臨床開発への投資額が増加



- JCR DO BRASILの稼働開始
- バイオリサーチセンター稼働開始

- JCR Europeの稼働開始

***Reach Beyond, Together***

一緒に、その先へ



# Appendix

## Named Patient Supply (NPS)

該当する医薬品が承認されていない国で、その使用を求める医師に対し、製造販売業者が患者を登録した上で個別に医薬品を提供するプログラム

## JCR IZCARGO<sup>®</sup> NPS

イズカーゴ<sup>®</sup>は未承認であるが、NPSが規制・制度上許可されている国において、その使用を求める医師の要請の下、当社基準を満たす患者に本剤（日本製品）を提供するプログラム

AAV	Adeno-Associated Virus	アデノ随伴ウイルス
BBB	Blood-Brain Barrier	血液脳関門
CNS	Central Nervous System	中枢神経系
CSF	Cerebrospinal fluid	脳脊髄液
EC	European Commission	欧州委員会
EMA	European Medicines Agency	欧州医薬品庁
ERT	Enzyme Replacement Therapy	酵素補充療法
EU	European Union	欧州連合
FDA	Food and Drug Administration	米国食品医薬品局
GHD	Growth Hormone Deficiency	成長ホルモン分泌不全性低身長症

HIE	Hypoxic ischemic encephalopathy in neonates	低酸素性虚血性脳症
HS	Heparan Sulfate	ヘパラン硫酸
i.v.	Intravenous Injection	静脈注射
JBC	J-Brain Cargo®	-
MPS	Mucopolysaccharidosis	ムコ多糖症
NPS	Named Patient Supply	特定の患者への医薬品提供プログラム
ODD	Orphan Drug Designation	希少疾病用医薬品指定
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
PRIME	Priority Medicines	アンメットメディカルニーズを対象とした医薬品の開発支援を強化するためのスキーム
R&D	Research and Development	研究開発
TBD	To be determined	未定