

2024年3月期 第1四半期（2023年4-6月） － 決算短信補足資料 －

2023年7月26日

J C R ファーマ株式会社

【証券コード】 4552

【問合せ先】 管理本部 広報・IR室 小山（TEL: 0797-32-1995）

連結決算概要

(単位：百万円)



連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	1Q実績	1Q実績	前年同期比		通期予想	年間進捗率
				増減額	増減率		
売上高	34,343	9,606	10,808	+1,202	+12.5%	36,900	29.3%
売上原価	8,886	2,933	3,363	+429	+14.6%	10,300	32.7%
売上総利益	25,456	6,672	7,445	+773	+11.6%	26,600	28.0%
販売費及び一般管理費	20,480	5,136	5,379	+242	+4.7%	21,000	25.6%
販売・一般管理費	11,678	2,945	3,084	+139	+4.7%	11,300	27.3%
研究開発費	8,802	2,191	2,294	+103	+4.7%	9,700	23.7%
営業利益	4,975	1,536	2,066	+530	+34.5%	5,600	36.9%
営業外収益	541	564	520	△43	△7.7%	-	-
営業外費用	99	16	326	+309	+1857.4%	-	-
経常利益	5,418	2,083	2,260	+177	+8.5%	5,200	43.5%
特別利益	10	-	-	-	-	-	-
特別損失	16	0	0	△0	-	-	-
税引前純利益	5,412	2,083	2,260	+177	+8.5%	-	-
法人税等	1,639	714	659	△64	△9.0%	-	-
親会社株主に帰属する 四半期 / 当期純利益	3,772	1,368	1,610	+241	+17.7%	3,800	42.4%

連結決算概要に関する補足説明

- 売上高は108億8百万円（前年同期比12.5%増）となりました。主に主力製品の売上合計および契約金収入が前期比で増加したことが要因です。
- 売上原価の増加は、製品売上の増加に伴うものです。
- 販売・一般管理費の増加は、主に人件費の増加によるものです。なお、住友ファーマ株式会社とのイズカーゴ®の共同プロモーションに関する費用は、販売・一般管理費にて計上しています。
- 営業外費用の増加は、昨年、第三者割当増資の引受を実施した台湾Mycenax社に関する持分法投資損失の計上などによるものです。

(単位：名)

従業員数推移	2022年6月末時点	2023年6月末時点	増減数
単 体	818	884	66
連 結	836	911	75

医薬品等売上高内訳（連結）



（単位：百万円）

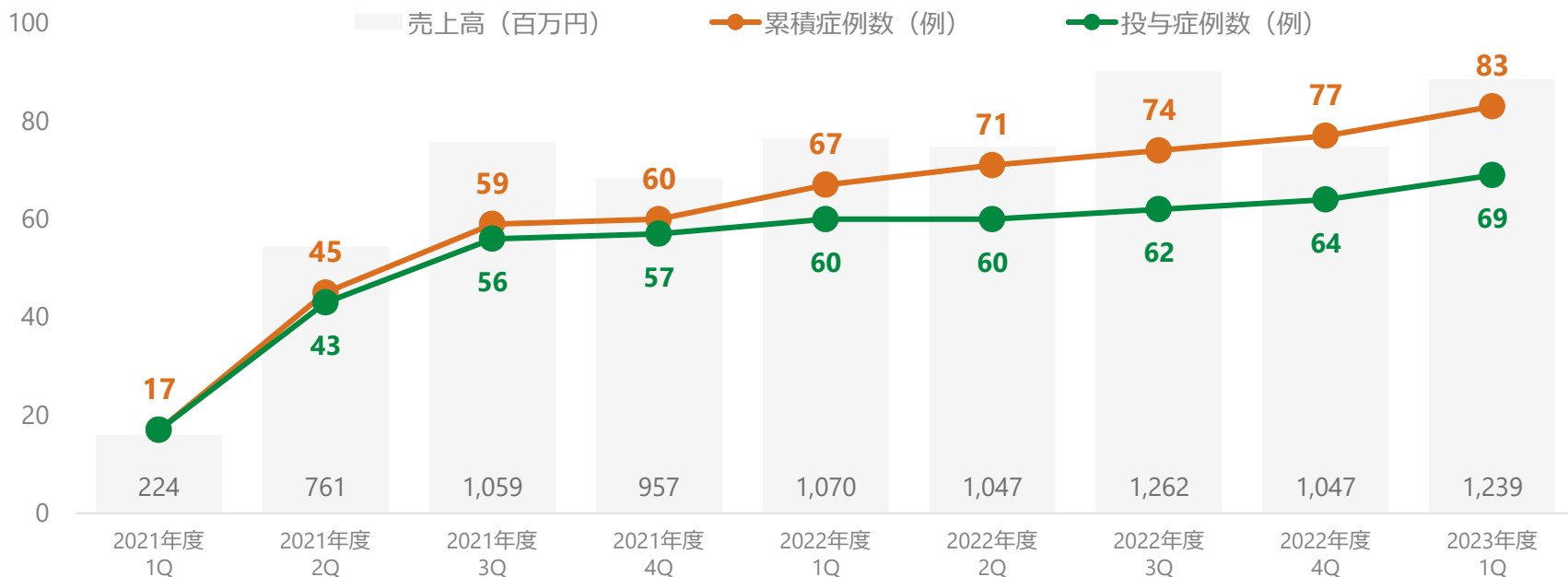
連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	1Q実績	1Q実績	前年同期比		通期予想	年間進捗率
				増減額	増減率		
グロウジェクト®	12,261	3,134	4,222	+1,088	+34.7%	10,900	38.7%
イズカーゴ®	4,428	1,070	1,239	+169	+15.8%	5,200	23.8%
テムセル® H S 注	3,404	1,041	1,063	+21	+2.1%	3,100	34.3%
腎性貧血治療薬	4,696	875	1,615	+739	+84.5%	5,400	29.9%
エポエチンアルファ BS 注「JCR」	2,710	660	602	△58	△8.8%	2,600	23.2%
ダルベポエチンアルファ BS 注「JCR」	1,986	214	1,012	+797	+371.0%	2,800	36.2%
アガルシダーゼ ベータ BS 点滴静注「JCR」	964	519	471	△48	△9.3%	1,600	29.5%
医薬品等合計	25,755	6,642	8,612	+1,969	+29.7%	26,200	32.9%

医薬品等売上高内訳に関する補足説明

- ・ グロウジェクト®、イズカーゴ®、テムセル®については、領域専任制などのプロモーション戦略等が売上高増加に寄与しました。
- ・ 腎性貧血治療薬については、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となりました。なお、2023年3月期第1四半期に発生したダルベポエチンアルファ BS注「JCR」の価格遡及については、2024年3月期には発生いたしません。
- ・ 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となりました。

2023年4月の体制変更において、アプローチ力・情報収集力を強化

- ・ イズカーゴ[®]専任MRの配置（全国8名）
- ・ 住友ファーマ株式会社とのコ・プロモーション（2023年4月24日～）



売上高内訳（連結）



（単位：百万円）

連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	1Q実績	1Q実績	前年同期比		通期予想	年間進捗率
				増減額	増減率		
医薬品等合計	25,755	6,642	8,612	+1,969	+29.7%	26,200	32.9%
契約金収入	6,546	1,010	1,612	+602	+59.6%	8,100	19.9%
その他	109	21	584	+562	+2561.8%	2,600	22.5%
A Z D 1 2 2 2 原液	1,931	1,931	-	△1,931	-	-	-
売上高合計	34,343	9,606	10,808	+1,202	+12.5%	36,900	29.3%

売上高内訳に関する補足説明

- その他として、製造受託分の売上高が予定どおり計上されております。
- アストラゼネカ株式会社の新型コロナウイルスに対するワクチン原液（AZD1222）の国内製造の受託は2023年3月期までに予定どおり終了しております。



参考：研究開発の状況



(単位：百万円)

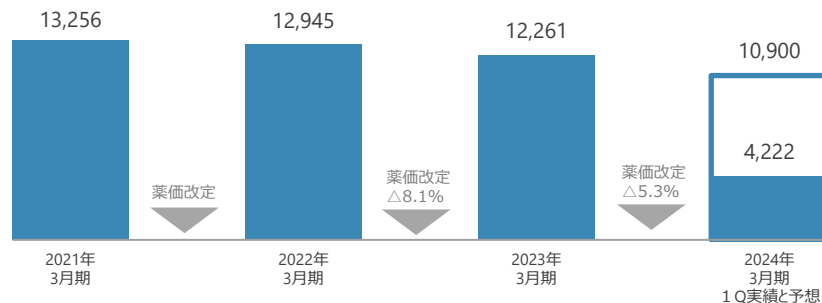
連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	1Q実績	1Q実績	前年同期比		通期予想	年間進捗率
				増減額	増減率		
研究開発費	8,802	2,191	2,294	+103	+4.7%	9,700	23.7%
対売上高研究開発費率	25.6%	22.8%	21.2%	-	-	26.3%	-

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			・ ~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
JR-171	ムコ多糖症型（ハーラー症候群 等）		Global Ph1/2 解析中			・ 2024年度 Ph3試験
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリップ症候群A型）		Ph1/2			・ 2023年度上半期中の患者リクルート開始を目指す
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群B型）					・ 2024年度 Ph1/2試験
JR-479	GM2ガングリオシドーシス（サンドホフ病、テイ・サックス病）					・ ~2025年度 Ph1試験
JR-471	フコシドーシス					—
JR-162	ポンペ病					—
JR-443	ムコ多糖症VII型（スライ症候群）					—
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症		国内 Ph1/2 解析完了			・ 2023年度 Ph3試験
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		国内 Ph1/2 解析中			—

参考：各製品別売上高推移 予想



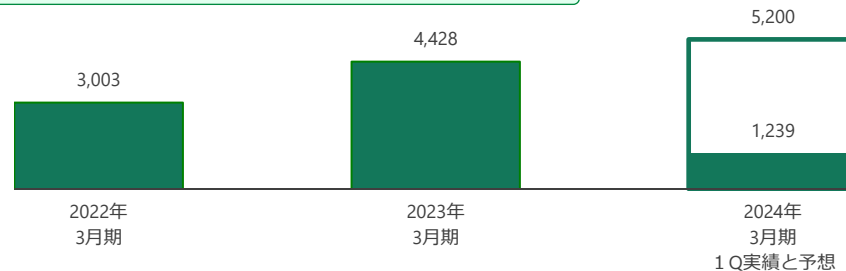
遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤
グロウジェクト®



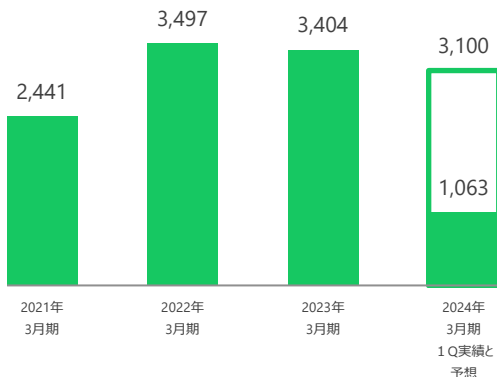
遺伝子組換えムコ多糖症II型酵素製剤
イズカーゴ®点滴静注用10mg

(単位：百万円)

2023年4月24日～：住友ファーマと共同プロモーション

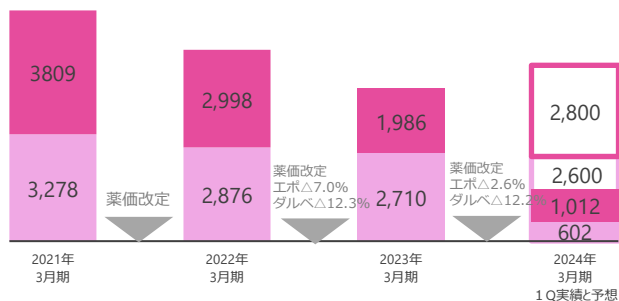


ヒト体性幹細胞加工製品
ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞
テムセル®HS注



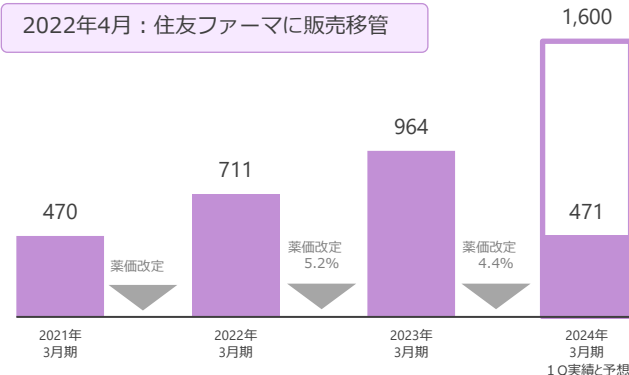
遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤
エポエチンアルファBS注「JCR」
持続型赤血球造血刺激因子製剤
ダルベポエチン アルファBS注「JCR」

■ エポエチンアルファ
■ ダルベポエチン



遺伝子組換えファブリー病治療剤
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

2022年4月：住友ファーマに販売移管



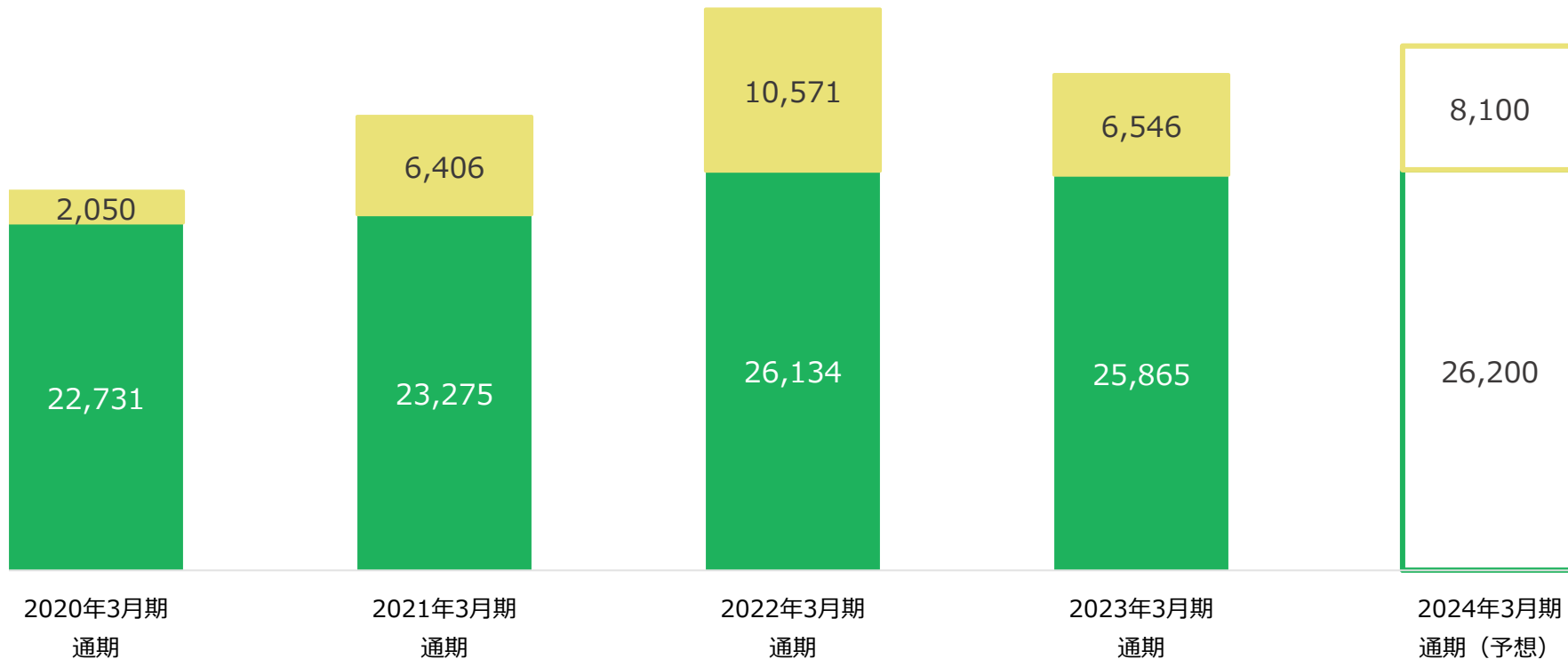
参考：売上高推移 予想（AZD1222原液を除く）



（単位：百万円）

■ 製商品*売上高 ■ 契約金

*製商品：グロウジェクト、イズカーゴ、腎性貧血治療薬、テムセル、アガルシダーゼベータBS注「JCR」、その他



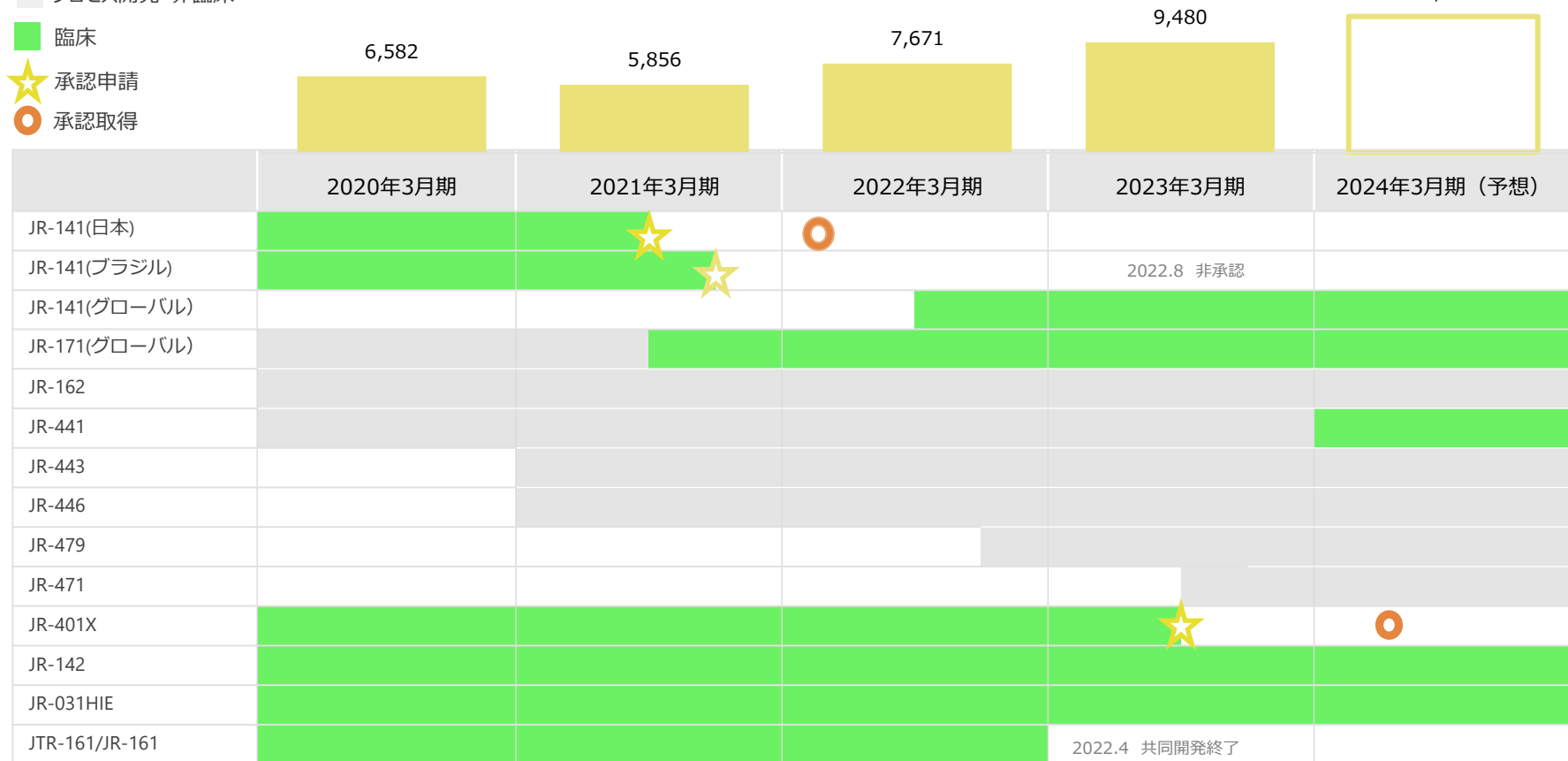
参考：研究開発費（負担控除前）と主な研究開発品目の進捗状況

■ プロセス開発・非臨床

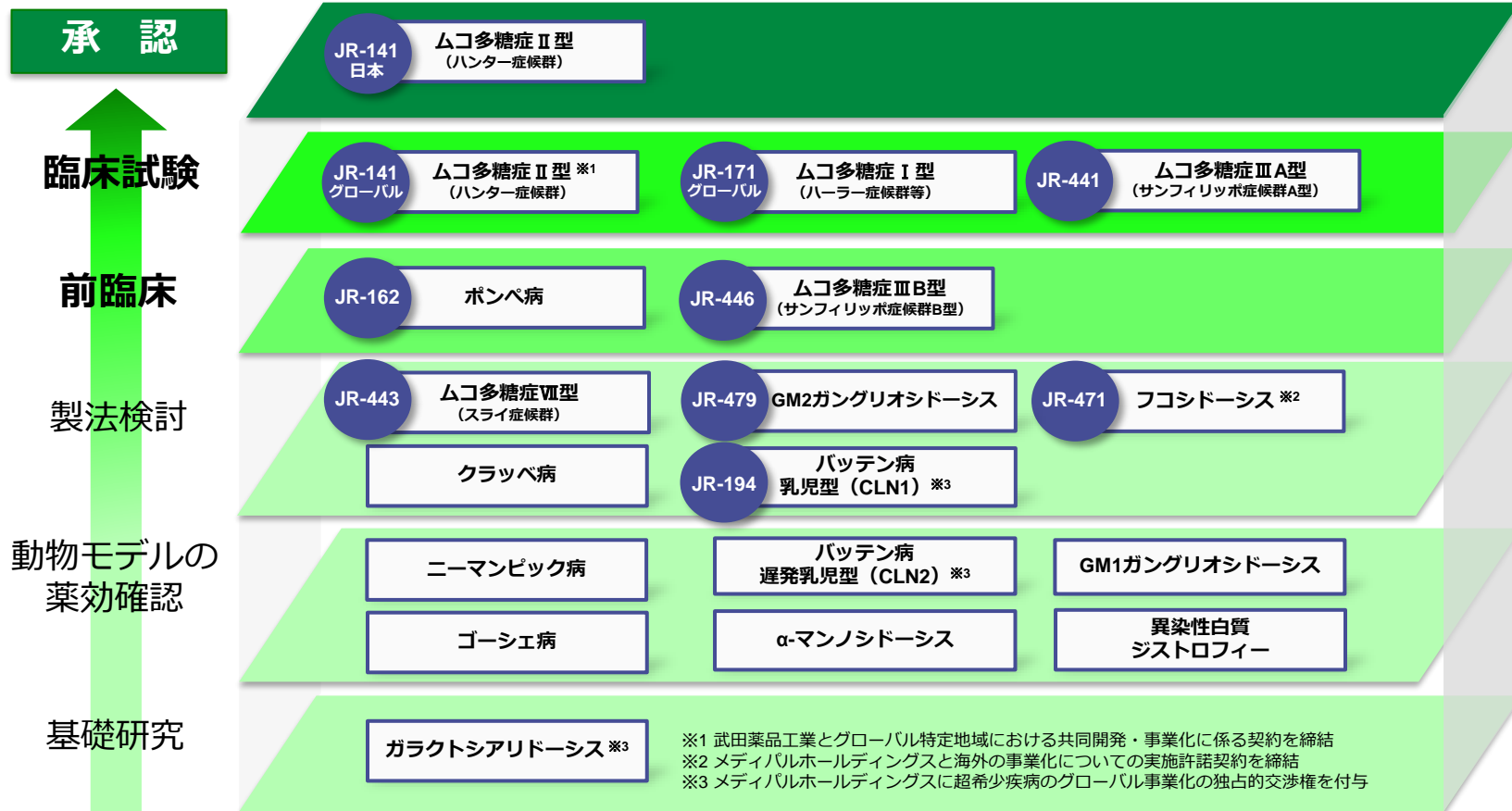
■ 臨床

★ 承認申請

○ 承認取得

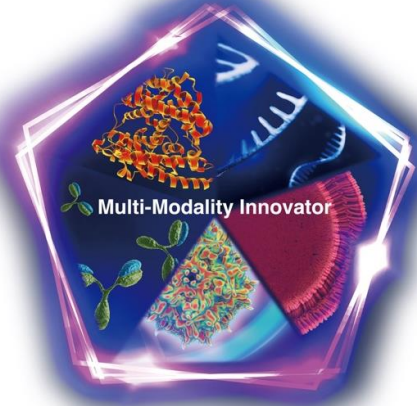


参考：開発ステージ（J-Brain Cargo®適用の17のライソゾーム病治療薬）



参考：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



脳



眼



骨格筋



軟骨



その他

標的疾患の一例

ライソゾーム病

神経変性疾患

眼疾患

骨系統疾患

筋疾患



「イズカーゴ®」の承認（日本）

武田薬品と「遺伝子治療」に関する提携



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



2020

2021

2022

2023

武田薬品と「JR-141」に関する提携



メディカルホールディングスと「超希少疾病」に関する提携



メディカルHD

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

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

参考：研究開発パイプライン

開発番号	適応症	ステータス	次のマイルストーン	備考
JR-141	 △コ多糖症Ⅱ型 (ハンター症候群)	承認	-	<ul style="list-style-type: none"> 先駆け審査指定制度/ オーフアンドラッグ
		 臨床第3相試験	<ul style="list-style-type: none"> ~2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定 	<ul style="list-style-type: none"> 武田薬品工業とグローバル特定地域における共同開発・事業化に係る契約を締結 米国：オーファンドラッグ/ ファストトラック/ RPDD 欧州：オーファンドラッグ/ PRIME
JR-171	 △コ多糖症Ⅰ型 (ハーラー症候群等)	臨床第1/2相試験（解析中）	<ul style="list-style-type: none"> 2024年度 Phase3 	<ul style="list-style-type: none"> 米国：オーファンドラッグ/ ファストトラック 欧州：オーファンドラッグ
JR-441	△コ多糖症ⅢA型 (サンフィリップ症候群A型)	臨床第1/2相試験	<ul style="list-style-type: none"> 2023年度上半期中の患者リクルート開始を目指す 	<ul style="list-style-type: none"> 欧州：オーファンドラッグ
JR-446	△コ多糖症ⅢB型 (サンフィリップ症候群B型)	前臨床	<ul style="list-style-type: none"> 2024年度 Phase1/2 	-
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)	前臨床	<ul style="list-style-type: none"> ~2025年度 Phase1 	-
JR-471	フコシドーシス	製法検討	-	<ul style="list-style-type: none"> メディバルホールディングスと海外の事業化についての実施許諾契約を締結
JR-162	ポンペ病	前臨床	-	-
JR-443	△コ多糖症Ⅶ型 (スライ症候群)	前臨床	-	-
JR-142	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症 	臨床第2相試験（解析完了）	<ul style="list-style-type: none"> 2023年度 Phase 3 	<ul style="list-style-type: none"> 持続型成長ホルモン製剤
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症 	臨床第1/2相試験（解析中）	-	<ul style="list-style-type: none"> テムセル®HS注 適応拡大

参考：開発パイプライン（ライソゾーム病）

JR-141

pabinafusp alfa 血液脳関門通過型 遺伝子組換えイズロン酸-2-スルファターゼ

適応症：	ムコ多糖症II型（ハンター症候群）
患者数*1	約250人（日本）、約7,800人（WW）
想定市場規模*2	約76億円（2019年/日本）、約870億円（2019年/WW）
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素（Iduronate-2-sulfatase）の欠損により発症するX染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸（HS）やデルマタン硫酸（DS）が全身の組織に蓄積し、関節拘縮や骨変形、肝臓・脾臓の肥大、呼吸障害、弁膜症状等、幅広い症状が挙げられるが、特に中枢神経症状の進行抑制が課題となっている。

JR-171

lepnafusp alfa 血液脳関門通過型 遺伝子組換え α -L-イズロニダーゼ

適応症：	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群、ハーラー・シャイエ症候群、シャイエ症候群）
患者数*1	約60人（日本）、約3,600人（WW）
想定市場規模*2	約700億円（2019年/WW）
疾患概要	ムコ多糖を体内で分解する酵素（ α -L-イズロニダーゼ）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸（HS）やデルマタン硫酸（DS）が全身の組織に蓄積し、中枢神経症状、関節病変、低身長、角膜混濁、心臓弁膜症、肝脾腫など幅広い症状がある。既存の治療酵素製剤は血液脳関門を通過できないため、脳内で薬効を発揮できず、中枢神経症状に対し効果が期待できないことが重大な課題となっている。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

参考：開発パイプライン（ライソゾーム病）

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（サンフィリッポ症候群A型）
患者数*1：	約30人（日本：A型、B型総数）、約4,000人（WW）
想定市場規模*2：	> 700億円（2019年/WW：A型、B型総数）
疾患概要：	ムコ多糖を体内で分解する酵素（Heparan-N-sulfatase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。症状として、特に中枢神経障害が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。A型は比較的重症であると言われている。治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが効果は明らかではない。

JR-162

J-Brain Cargo®適用 遺伝子組換え酸性α-グルコシダーゼ

適応症：	ボンベ病
患者数*1：	約80人（日本）、約10,000人（WW）
市場規模*2：	約30億円（2019年/日本）、約1,100億円（2019年/WW）
疾患概要：	グリコーゲンの分解に必要な酵素（acid α-glucosidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。筋細胞や神経細胞内にグリコーゲンが蓄積することにより症状が現れる。乳児型は生後2か月で哺乳力低下、筋力低下が出現し、自然歴では18か月までに心機能障害、呼吸障害により死亡する。遅発型は筋力低下や呼吸筋の筋力低下をきたす。また、症状の一つに、中枢神経障害がある。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

参考：開発パイプライン（ライソゾーム病）

JR-443

血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-グルクロニダーゼ

適応症：	ムコ多糖症VII型（スライ症候群）
患者数*1：	数名程度（日本）、約200人（WW）
想定市場規模*2：	約98億円（2019年/WW）
疾患概要：	ムコ多糖を体内で分解する酵素（β-glucuronidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸、デルマタン硫酸が蓄積する。症状として骨変形、関節拘縮のほか、重症患者には中枢神経障害が認められる。治療法として、造血幹細胞移植および酵素補充療法があるが、中枢神経障害を含む病態への明確な効果は認められていない。

JR-446

血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-N-アセチルグルコサミニダーゼ

適応症：	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）
患者数*1：	約30人（日本：A型、B型総数）、約1,800人（WW）
想定市場規模*2：	> 700億円（2019年/WW：A型、B型総数）
疾患概要：	ムコ多糖を体内で分解する酵素（α-N-acetylglucosaminidase）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。ヘパラン硫酸が蓄積する。症状として、特に中枢神経障害が急速に進行し、発達年齢は2、3歳をピークとしてその後退行する。治療法として、造血幹細胞移植が考慮されるが、効果は明らかではない。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

参考：開発パイプライン（ライソゾーム病）

JR-479

血液脳関門通過型 遺伝子組換えβ-ヘキソサミニダーゼA

適応症：	GM2ガングリオシドーシス（テイ・サックス病、サンドホフ病）
患者数*1：	約30人（日本）、TBD（WW）
想定市場規模*2：	TBD
疾患概要：	ライソゾーム病の一種で、糖脂質であるGM2ガングリオシドを体内で分解する酵素（β-ヘキソサミニダーゼA）の欠損により発症する常染色体劣性遺伝性疾患。脳を中心に原因基質が蓄積するため、進行性の中樞神経症状を呈する。テイ・サックス病とサンドホフ病は臨床症状で区別することは困難。

JR-471

血液脳関門通過型 遺伝子組換えα-L-フコシダーゼ

適応症：	フコシドーシス
患者数*1：	TBD
想定市場規模*2：	TBD
疾患概要：	ライソゾーム病の一種で、遺伝子変異により糖たんぱく質の代謝酵素（α-L-フコシダーゼ）の活性が低下し、フコースを含む糖鎖や糖たんぱく質が全身に蓄積する常染色体劣性遺伝性疾患。進行性の精神運動発達遅滞や筋緊張低下、内臓肥大、骨格異常など様々な症状を呈する。急速な進行を示し、小児期に生命を脅かす重篤な合併症を引き起こすタイプと、思春期に発症し進行は緩徐であるものの、成人期に重篤な合併症を引き起こす軽症型に分類される。

*1 患者数：厚生労働省班研究等の公開情報及び自社調査を元に算出 *2 市場規模：JCR調べ

参考：開発パイプライン（成長ホルモン領域、再生医療等製品）



JR-142

遺伝子組換え持続型成長ホルモン

適応症	：	小児成長ホルモン分泌不全性低身長症
技術特徴	：	独自の改変型アルブミンを融合させることにより、 バイオ医薬品の血中半減期を大幅に延長させる技術を開発（特許出願済）

JR-031HIE

ヒト間葉系幹細胞（テムセル® HS注 適応拡大）

適応症	：	新生児低酸素性虚血性脳症
発症率*	：	正期産出生数1000人に対し2.5人（WW） （治療対象：標準治療である低体温療法適応となる中等度～重度の患者 150-200人/年）

*JCR調べ