

2024年3月期 第3四半期（2023年4-12月） － 決算短信補足資料 －

2024年1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（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	3Q実績 (累計)	3Q実績 (累計)	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
売上高	34,343	26,696	33,718	+7,022	+26.3%	45,400	74.3%
売上原価	8,886	6,899	8,423	+1,523	+22.1%	12,400	67.9%
売上総利益	25,456	19,796	25,295	+5,498	+27.8%	33,000	76.7%
販売費及び一般管理費	20,480	14,843	17,486	+2,642	+17.8%	22,500	77.7%
販売・一般管理費	11,678	8,426	9,127	+701	+8.3%	12,800	71.3%
研究開発費	8,802	6,417	8,359	+1,941	+30.3%	9,700	86.2%
営業利益	4,975	4,953	7,809	+2,855	+57.7%	10,500	74.4%
営業外収益	541	414	575	+160	+38.7%	-	-
営業外費用	99	76	995	+919	+1206.6%	-	-
経常利益	5,418	5,291	7,388	+2,097	+39.6%	10,000	73.9%
特別利益	10	-	0	+0	-	-	-
特別損失	16	11	18	+6	+61.9%	-	-
税引前純利益	5,412	5,280	7,371	+2,090	+39.6%	-	-
法人税等	1,639	1,711	2,210	+498	+29.2%	-	-
親会社株主に帰属する 四半期 / 当期純利益	3,772	3,568	5,160	+1,591	+44.6%	7,300	70.7%

連結決算概要に関する補足説明

- 前年同期比で**大幅な増収増益**となりました。製品売上および契約金収入が前年同期比で増加したことが要因です。
- 売上原価**について、原価率は改善傾向を示しており、社内計画を下回る推移です。
- 販売・一般管理費**は、効率的な事業遂行により、社内計画を下回る推移です。
- 研究開発費**は、社内計画を上回る推移です。グローバル臨床試験の加速に伴う経費の発生が主な要因です。
- 営業外費用**として、持分法適用関連会社である台湾Mycenax Biotech Inc. およびAlliedCel株式会社に関する持分法投資損失が計上されています。
- 法人税等**について、前年度より実効税率の変更はありません。

(単位：名)

従業員数推移	2022年12月末時点	2023年12月末時点	増減数
単 体	834	900	66
連 結	851	932	81

医薬品等売上高内訳（連結）



(単位：百万円)

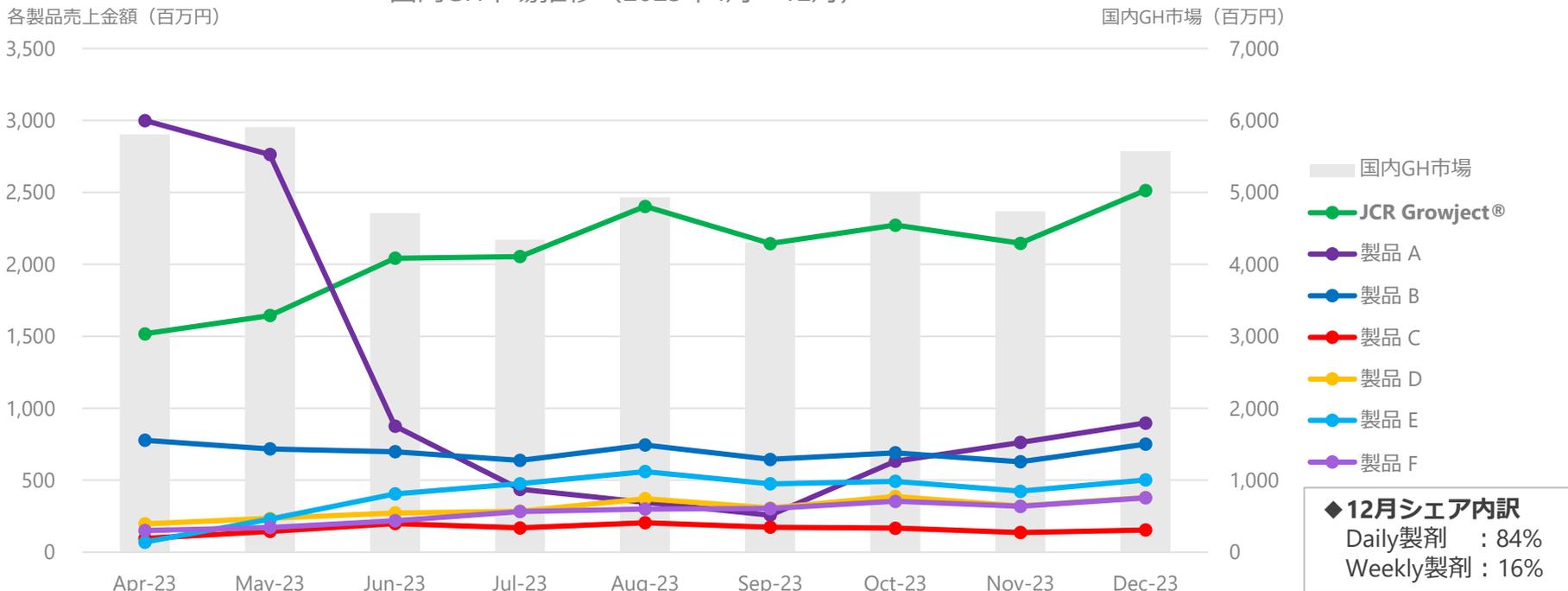
連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	3Q実績 (累計)	3Q実績 (累計)	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
グロウジェクト®	12,261	9,320	13,995	+4,674	+50.1%	19,500	71.8%
イズカーゴ®	4,428	3,380	4,046	+666	+19.7%	5,500	73.6%
テムセル® H S 注	3,404	2,560	2,699	+138	+5.4%	3,300	81.8%
腎性貧血治療薬	4,696	3,573	3,673	+99	+2.8%	5,000	73.5%
エポエチンアルファ B S 注「J C R」	2,710	2,084	1,681	△ 403	△ 19.4%	2,200	76.4%
ダルベポエチンアルファ B S 注「J C R」	1,986	1,489	1,992	+503	+33.8%	2,800	71.2%
アガルシダーゼ ベータ B S 点滴静注「J C R」	964	835	998	+163	+19.5%	1,400	71.3%
医薬品等合計	25,755	19,671	25,413	+5,742	+29.2%	34,700	73.2%

医薬品等売上高内訳に関する補足説明

- 当社の主力製品である、グロウジェクト®やイズカーゴ®、テムセル® の売上高が前年同期比で増加しました。なお、グロウジェクト®とイズカーゴ®は社内計画に沿った進捗、テムセル®は社内計画を上回る推移です。

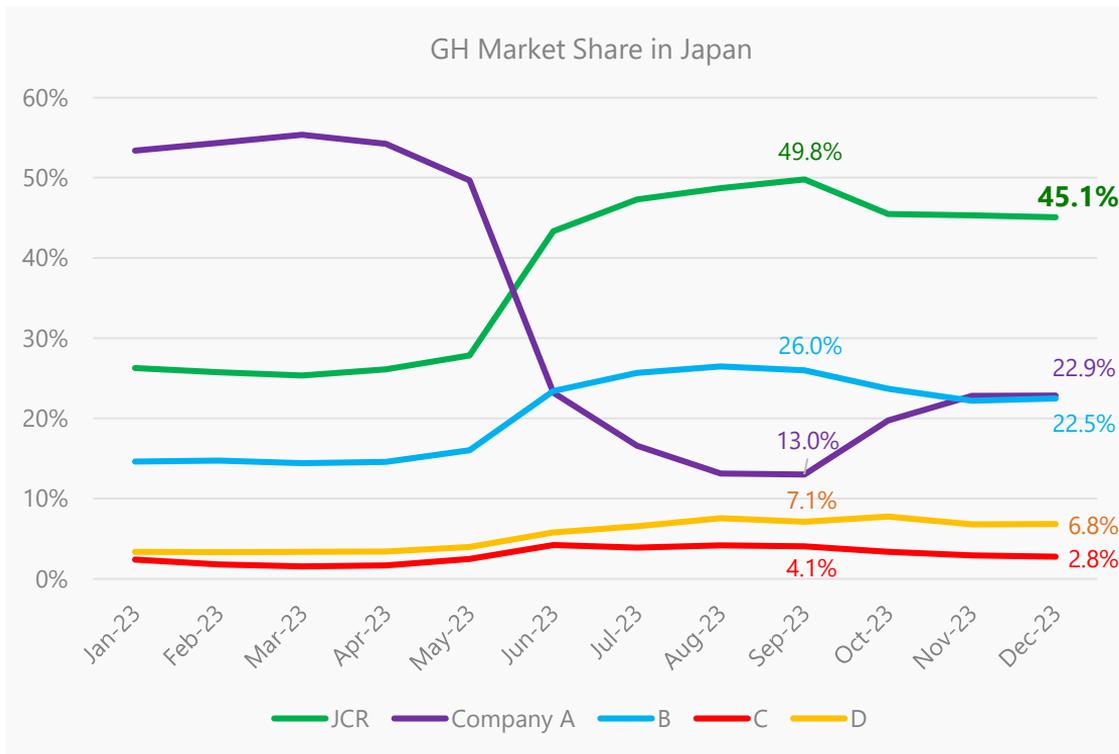
➤ 2023年12月 過去最高の単月売上を達成（25億1千万円）※薬価ベース

国内GH市場推移（2023年4月～12月）



Copyright © 2024 IQVIA. JPM(2023年4月～2023年12月)を基に自社分析/無断転載禁止

グロウジェクト® 市場動向



■グロウジェクト® 各市場別シェア

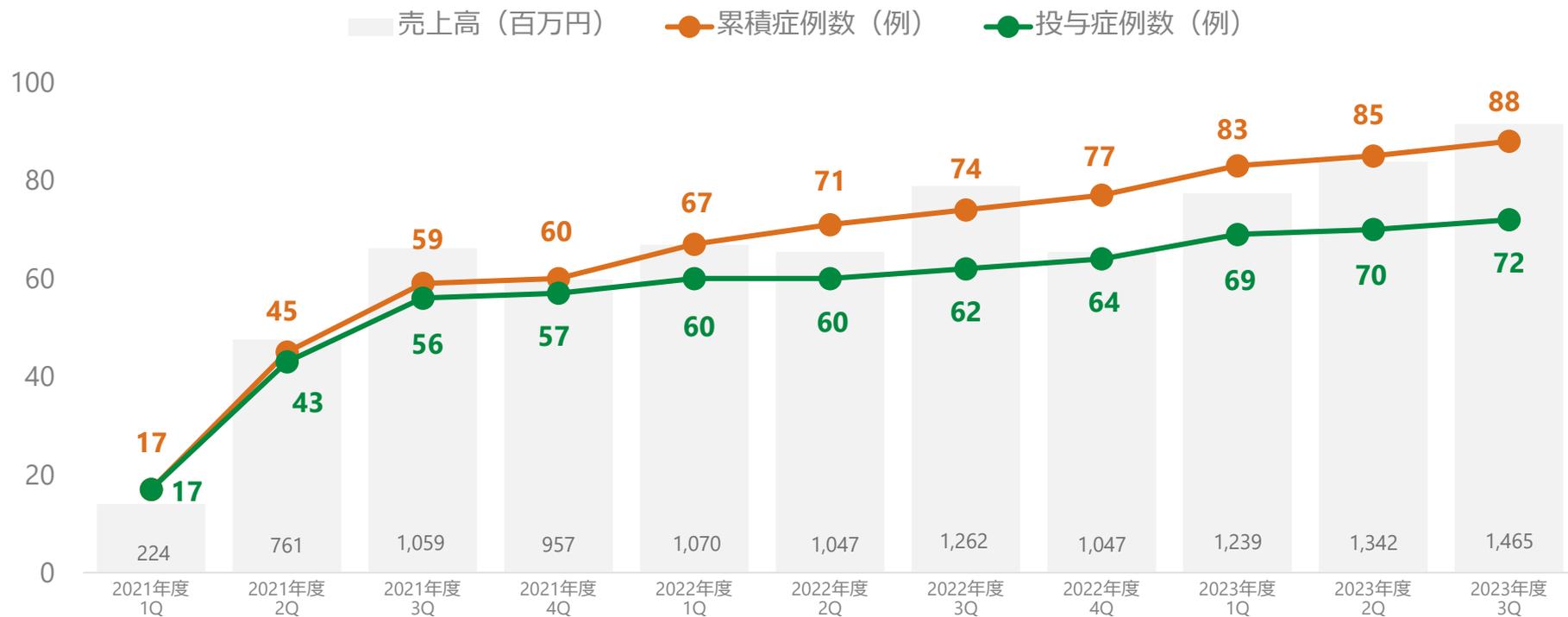
	2023年 12月時点	10-12月 売上増減 (対7-9月/薬価ベース)
病院市場 (HP)	38%	+85百万円
開業医市場 (GP)	63%	+155百万円

Copyright © 2024 IQVIA. JPM (2023年7月-2023年12月) をもとに作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

Copyright © 2024 IQVIA.

JPM(2023年1月~2023年12月)を基に自社分析/無断転載禁止

イズカーゴ[®]販売状況



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	3Q実績 (累計)	3Q実績 (累計)	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
医薬品等合計	25,755	19,671	25,413	+5,742	+29.2%	34,700	73.2%
契約金収入	6,546	5,010	7,112	+2,102	+42.0%	8,100	87.8%
その他	109	83	1,192	+1,109	+1334.3%	2,600	45.9%
A Z D 1 2 2 2 原液	1,931	1,931	-	-	△100.0%	-	-
売上高合計	34,343	26,696	33,718	+7,022	+26.3%	45,400	74.3%

売上高内訳に関する補足説明

- **契約金収入**については、引き続き通期予想の達成に向けて契約交渉を進めております。
- **その他**として計上される製造受託分の売上高は、予定通り進捗しています。
- 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)

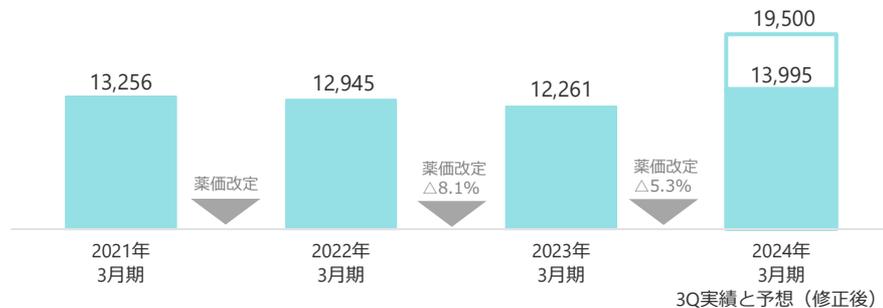
連結	2023年3月期		2024年3月期				
	通期実績	3Q実績 (累計)	3Q実績 (累計)	前年同期比		通期予想 (修正後)	年間進捗率
				増減額	増減率		
研究開発費	8,802	6,417	8,359	+1,941	+30.3%	9,700	86.2%
対売上高研究開発費率	25.6%	24.0%	24.8%	-	-	21.4%	-

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"> 2024年度 第1四半期 中間解析に必要な症例数の登録完了見込み ～2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
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"> 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）		Global Ph1/2			<ul style="list-style-type: none"> 2024年度 上半期 LPI 2025年度 下半期 データ（1年）の解析完了予定
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリップ症候群B型）					<ul style="list-style-type: none"> 2024年度 上半期 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）					<ul style="list-style-type: none"> ～2025年度 Ph1試験
JR-471	フコシドーシス					-
JR-162	ポンベ病					-
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 Ph2 解析完了			<ul style="list-style-type: none"> 2024年度 Ph3試験
JR-031HIE	新生児低酸素性虚血性脳症		国内 Ph1/2 解析完了			<ul style="list-style-type: none"> 今後の開発計画検討中

参考：各製品別売上高推移 予想

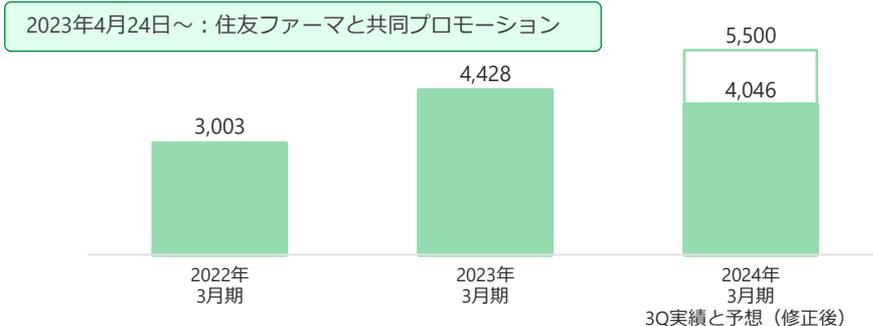


遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤
グロウジェクト®



遺伝子組換えムコ多糖症II型治療剤
イズカーゴ®点滴静注用10mg

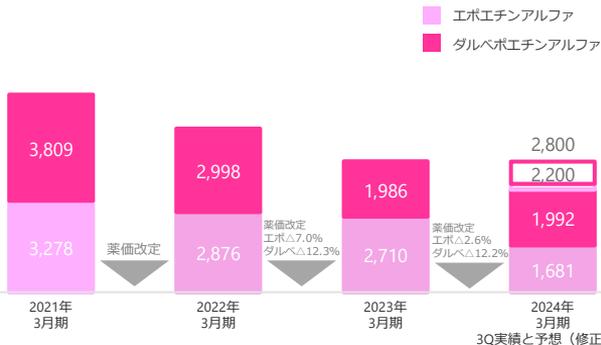
(単位：百万円)



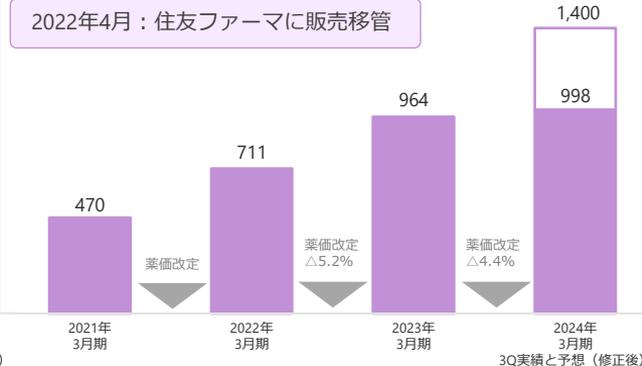
ヒト体性幹細胞加工製品
ヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞
テムセル®HS注



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」



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」



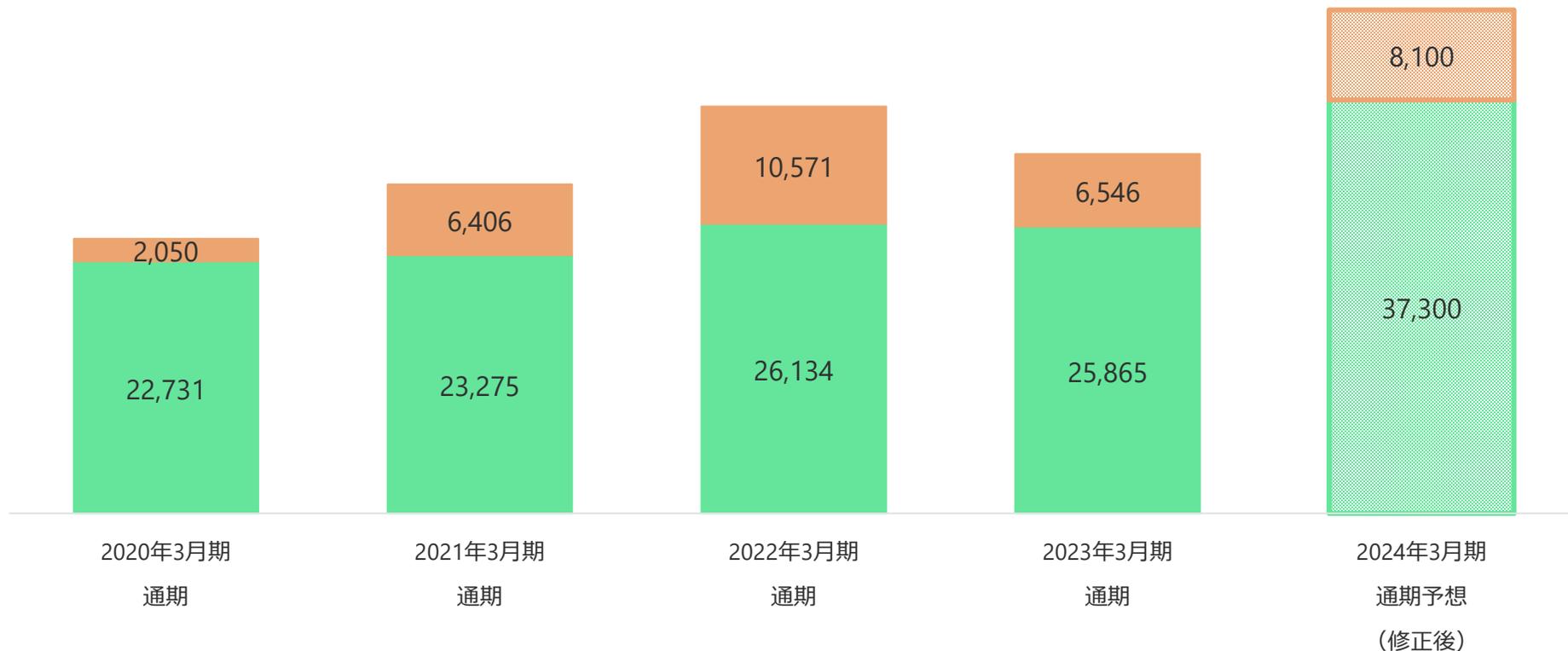
参考：売上高推移 予想（AZD1222原液を除く）



（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、その他



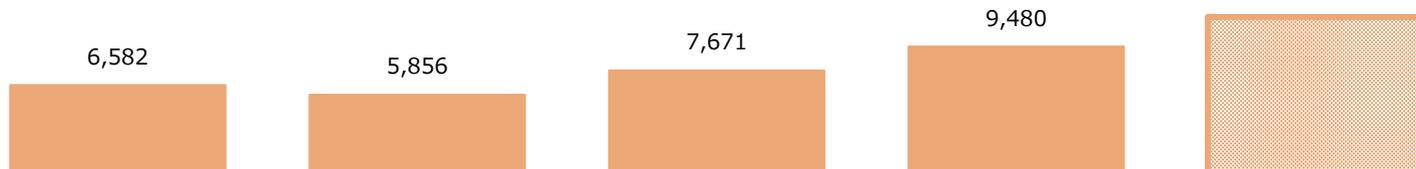
参考：研究開発費（負担控除前）と主な研究開発品目の進捗状況

プロセス開発・非臨床

臨床

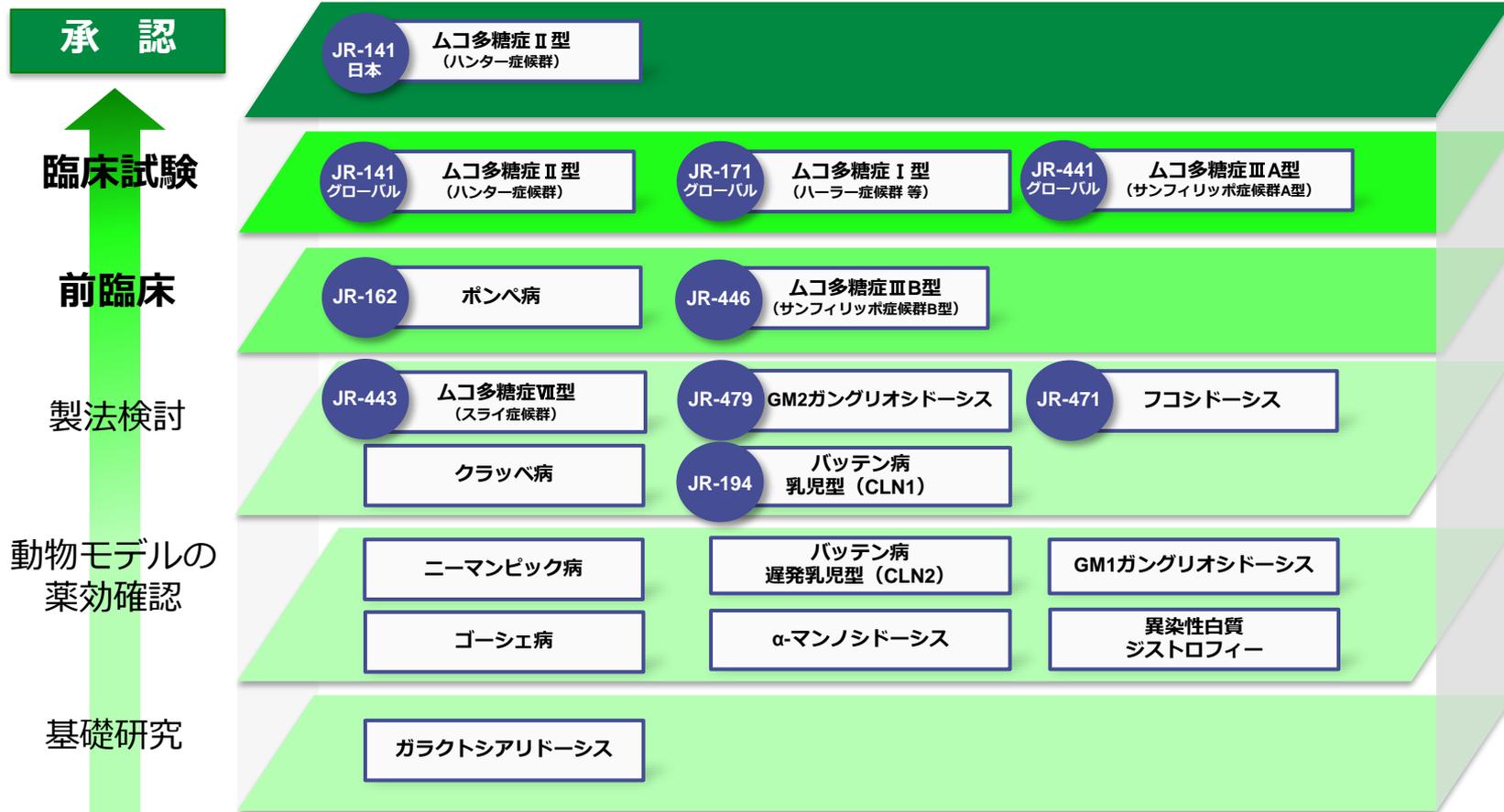
★ 承認申請

○ 承認取得



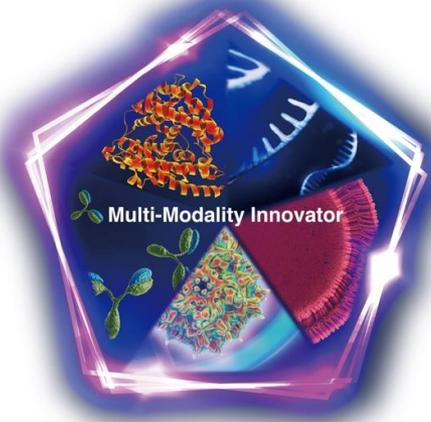
	2020年3月期	2021年3月期	2022年3月期	2023年3月期	2024年3月期 (予想)
JR-141(日本)		★ ○			
JR-141(ブラジル)		★		2022.8 非承認	
JR-141(グローバル)					
JR-171(グローバル)					
JR-162					
JR-441					
JR-443					
JR-446					
JR-479					
JR-471					
JR-401X				★	○
JR-142					
JR-031HIE					
JTR-161/JR-161				2022.4 共同開発終了	

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

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：	150-200人（日本）、2,000-3,000人（WW）
想定市場規模*2：	80-100億円（日本）、約900億円（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：	70人（日本）、3,000-4,000人（WW）
想定市場規模*2：	20-30億円（日本）、約600億円（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：	10人未満（日本）、1,000-2,000人（WW）
想定市場規模*2：	10-20億円（日本）、約600億円（WW）
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：	100-150人（日本）、約10,000人（WW）
市場規模*2：	約30億円（日本）、約1,600億円（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

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：	10人未満（日本）、100-200人（WW）
想定市場規模*2：	約30億円（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20人（日本）、500-1,000人（WW）
想定市場規模*2：	10-20億円（日本）、約250億円（WW）
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20人（日本）、1,000-2,000人（WW）
想定市場規模*2：	20-30億円（日本）、約550億円（WW）
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、進行性の中中枢神経症状を呈する。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：	10人未満（日本）、100-200人（WW）
想定市場規模*2：	<10億円（日本）、約150億円（WW）
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

長時間作用型遺伝子組換えヒト成長ホルモン

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