

2025年3月期 第2四半期 決算説明会

2024年10月30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（TEL: 0797-32-1995）

2025年3月期 第2四半期 連結業績

伊藤 洋
上席執行役員 経営戦略本部長

(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)

（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%
エポエチンアルファ BS注「JCR」	1,046	962	△83	△8.0%	43.8%
ダルベポエチン 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%

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の減少によるものです。

※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。

(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 $\Delta 1,274$ ・ 現金及び預金 $\Delta 484$ ・ 売掛金及び契約資産 $\Delta 2,579$ ・ 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 $\Delta 1,534$ ・ 未払消費税等 $\Delta 1,818$
				固定負債			
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			
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。

開発品目の進捗

Anne Bechet

上席執行役員 開発本部長

JCR Europe B.V. General Manager

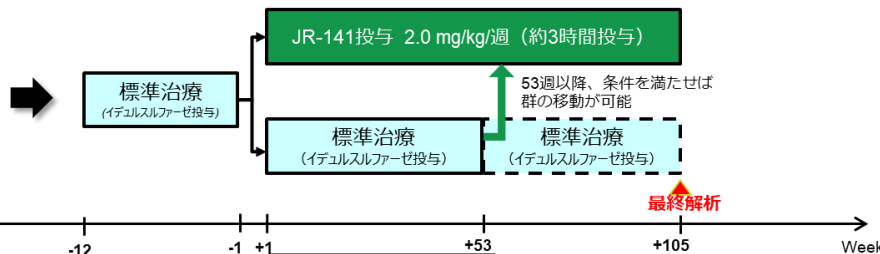
JCR USA Inc. General Manager

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

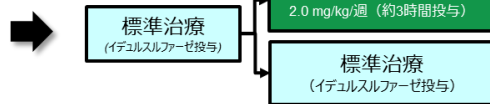
現在の状況

(試験概要)

◆ Cohort A :
(Neuropathic patients)
N=60



◆ Cohort B :
(Attenuated patients)
N=20



- 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

- 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）

ClinicalTrials.gov

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

- 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

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 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

- **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

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"> ～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 completed				<ul style="list-style-type: none"> 継続試験が進行中 導出に向けて交渉中
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"> 2024年度 Ph3試験 FPI
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				<p><Ph1/2></p> <ul style="list-style-type: none"> 目標症例数の登録完了 2025年度 下半期 データ（1年）の解析完了
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"> 2024年度 下半期 Ph1/2試験 FPI
JR-471	フコシドーシス					—

多様なモダリティへのJ-Brain Cargo[®]の応用 ～遺伝子治療への適用～

藪田 啓之

取締役 専務執行役員 研究本部長

酵素やタンパク質のデリバリー

欠損している酵素やタンパク質を
補充するため脳や筋肉に送達

抗体のデリバリー

様々なフォーマットの抗体を
脳に送達
(二重特異性/三重特異性抗体)

核酸のデリバリー (ASO、siRNA)

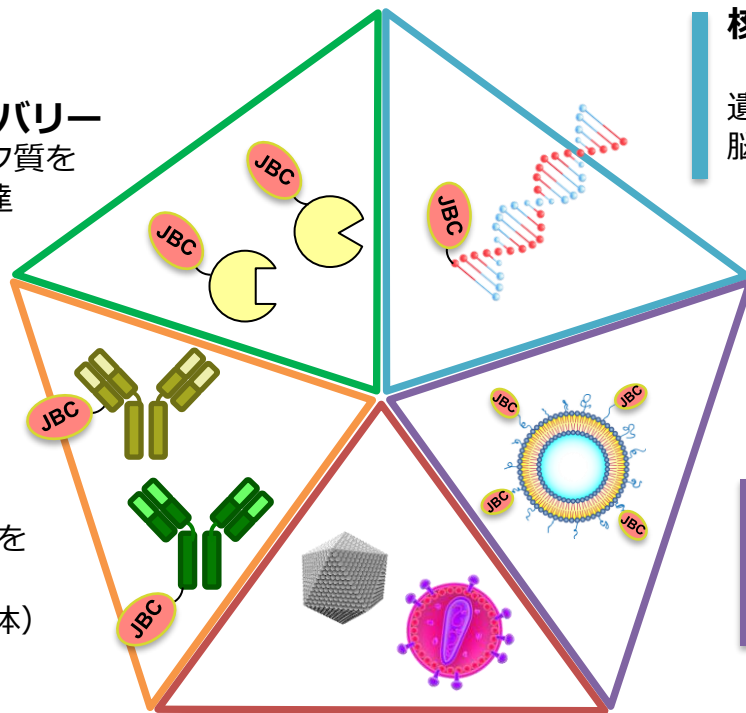
遺伝子発現を修飾するため
脳や筋肉に送達

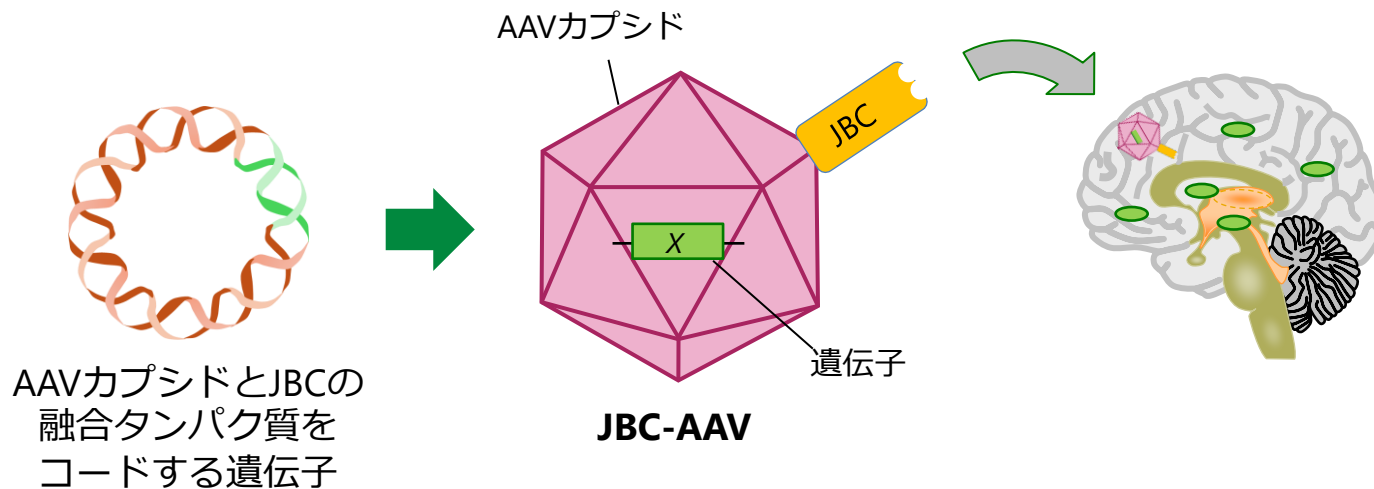
脂質ナノ粒子のデリバリー (mRNA, 低分子化合物)

欠損しているタンパク質を補うため
脳や筋肉に送達

遺伝子治療、細胞治療

JBCを組み合わせることで、中枢神経系症状の
治療への道を開拓

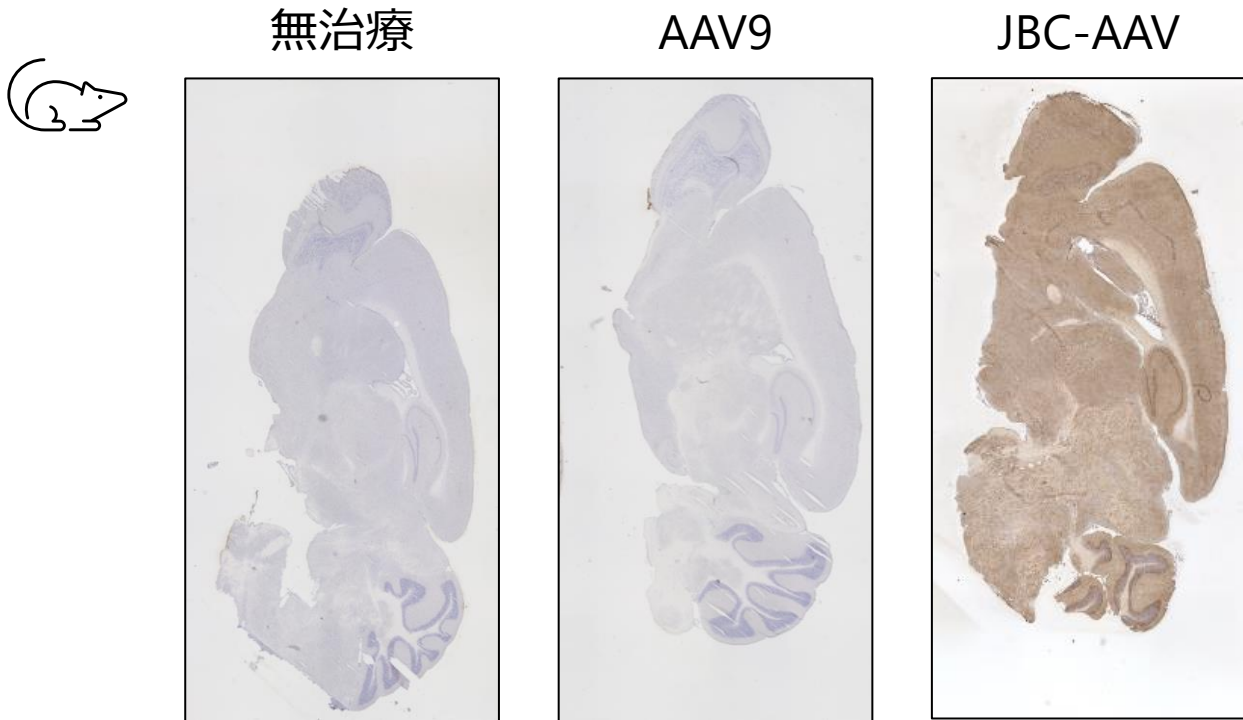




- JCR独自の遺伝子治療技術
- AAVカプシドの一部にJ-Brain Cargo[®]タグを挿入

- 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



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



技術導出の拡充
共同研究のさらなる増加



様々な疾患領域において
画期的な治療薬を創製

ライソゾーム病

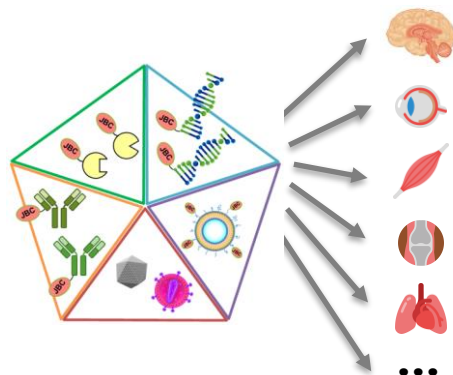
神経変性疾患

眼疾患

骨系統疾患

筋疾患

J-Brain Cargo®を基盤とした
広く応用が可能な技術



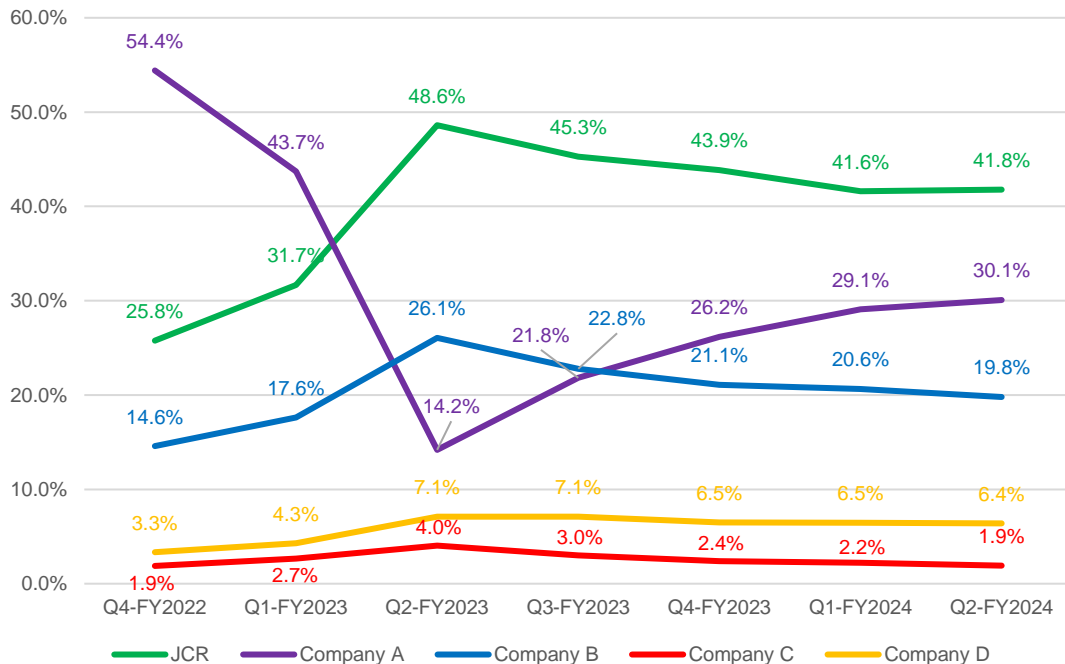
Reach Beyond, Together

一緒に、その先へ



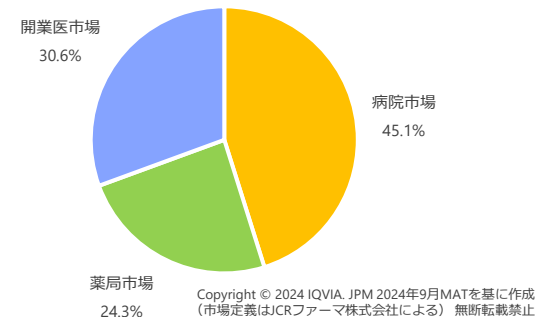
Appendix

国内GH市場シェア推移（FY2022 Q4～FY2024 Q2）※薬価ベース



Copyright © 2024 IQVIA. JPM(2023年1月～2024年9月)を基に自社分析/無断転載禁止
GH : Growth hormone (成長ホルモン製剤)

■ 国内GH市場

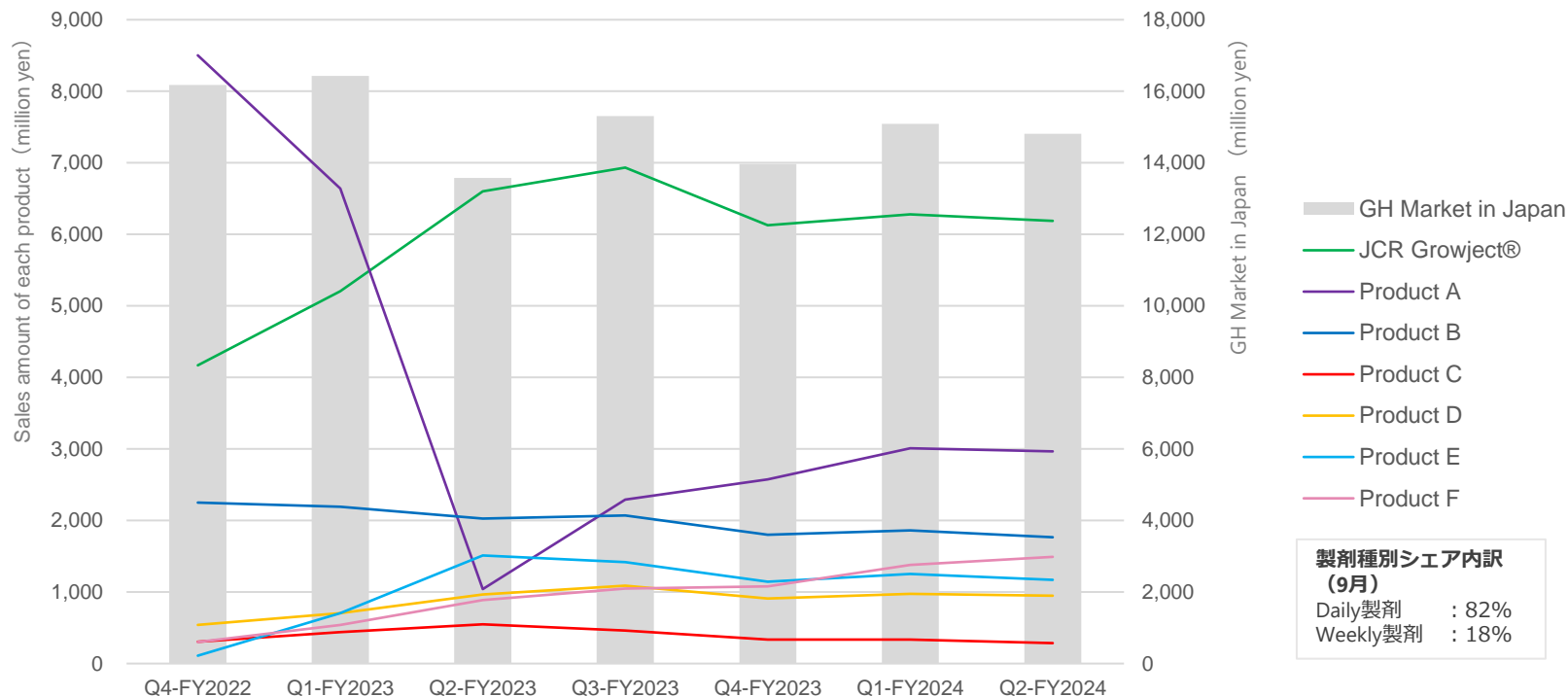


■ 各市場別 グロウジェクト®獲得シェア

	2024年 9月時点	FY2024 Q2売上増減 (vs FY2023 Q2売上) ※薬価ベース
病院市場	33.5%	-329百万円
薬局市場	30.7%	-128百万円
開業医市場	62.5%	+44百万円

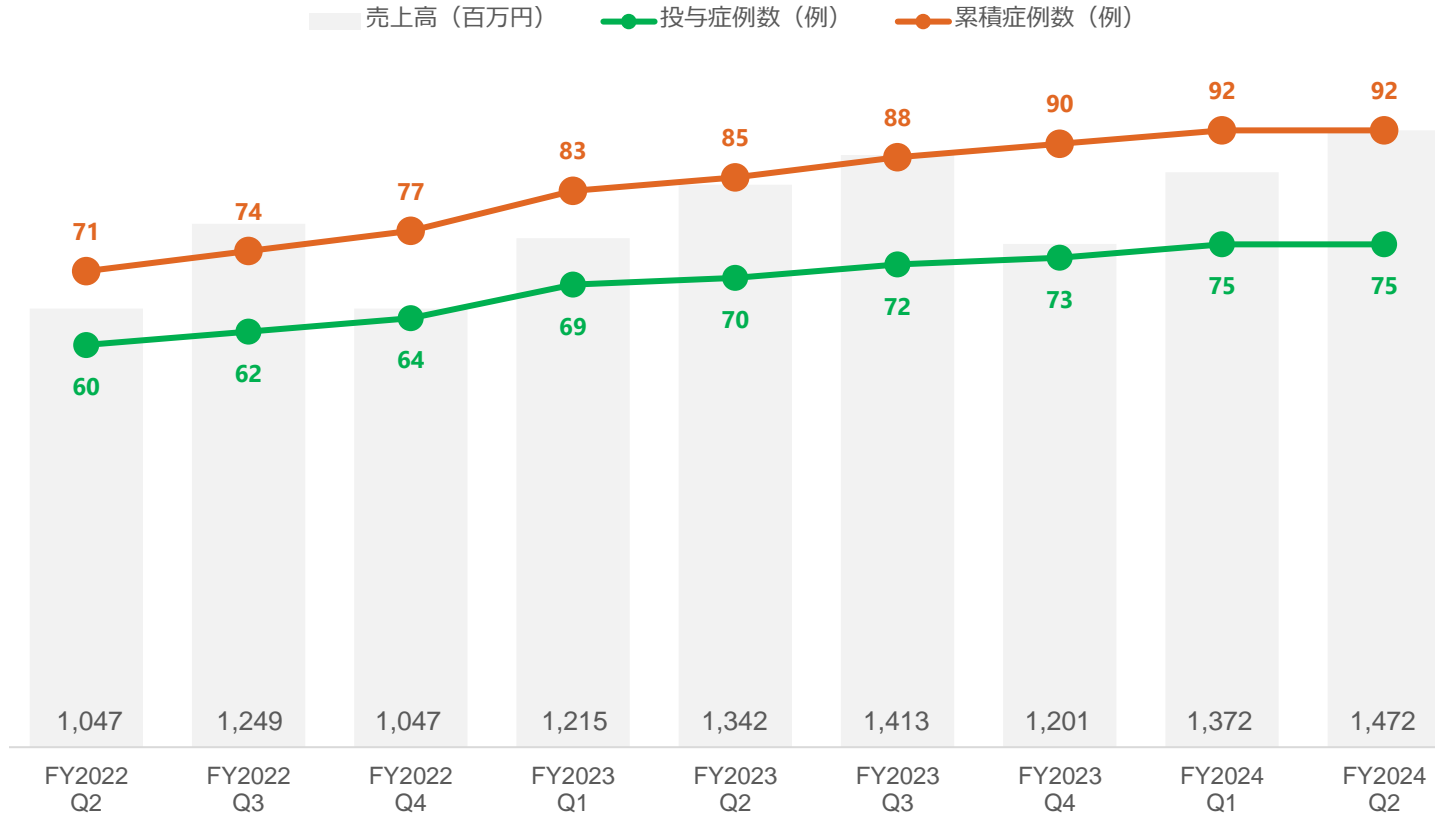
Copyright © 2024 IQVIA. JPM (2024年7月-2024年9月)を基に作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

国内GH市場推移 (FY2022 Q4~FY2024 Q2) ※薬価ベース

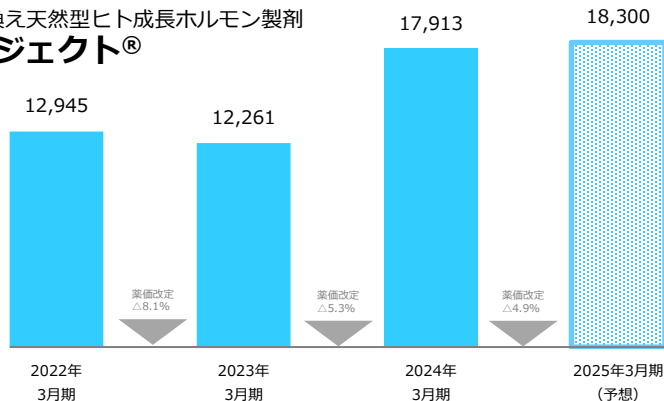


製剤種別シェア内訳 (9月)
 Daily製剤 : 82%
 Weekly製剤 : 18%

Copyright © 2024 IQVIA. JPM(2023年1月~2024年9月)を基に自社分析/無断転載禁止
 GH : Growth hormone (成長ホルモン製剤)



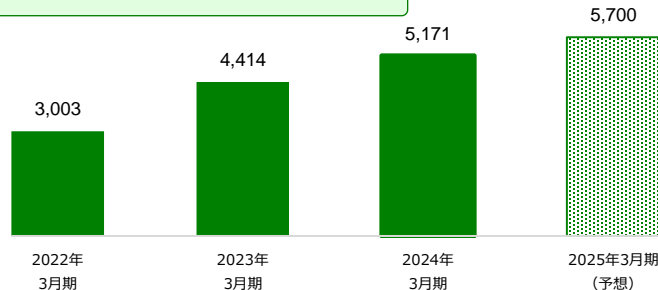
遺伝子組換え天然型ヒト成長ホルモン製剤 グロウジェクト®



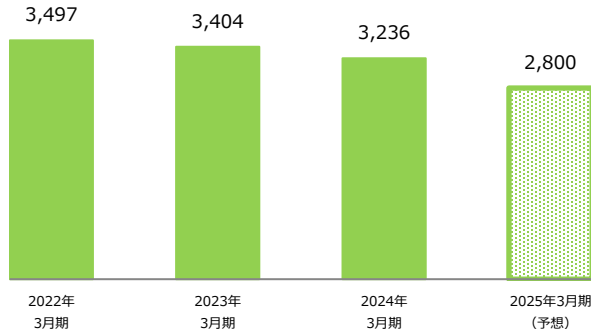
遺伝子組換えムコ多糖症II型治療剤 イズカーゴ®点滴静注用10mg

(単位：百万円)

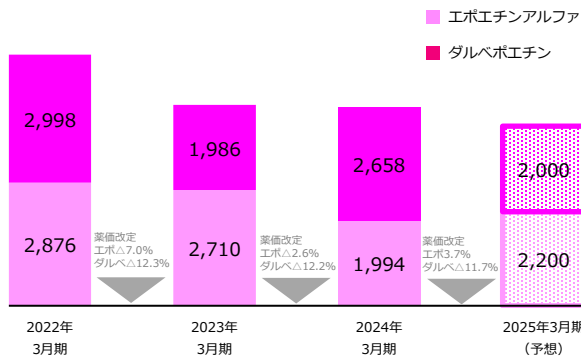
2023年4月24日～：住友ファーマと共同プロモーション



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

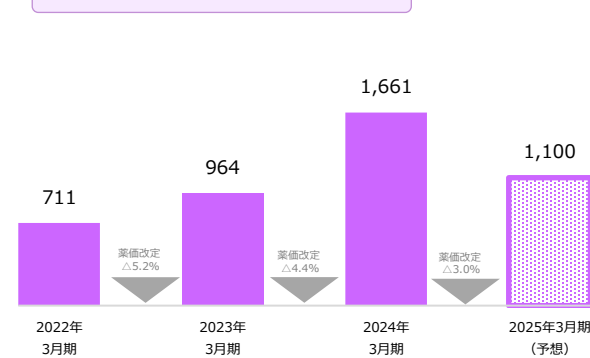


遺伝子組換えヒトエリスロポエチン製剤 エポエチンアルファBS注「JCR」 持続型赤血球造血刺激因子製剤 ダルベポエチン アルファBS注「JCR」



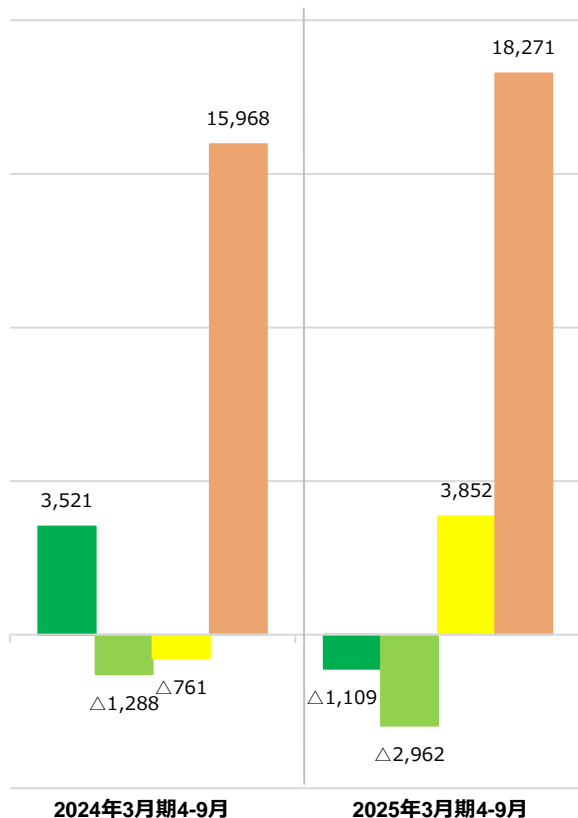
遺伝子組換えファブリー病治療剤 アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

2022年4月：住友ファーマに販売移管



（単位：百万円）

- 営業活動によるCF
- 投資活動によるCF
- 財務活動によるCF
- 期末現金及び現金同等物



	2024年3月期4-9月	2025年3月期4-9月	増減
税金等調整前純利益	7,120	△556	△7,676
減価償却費	1,335	1,667	+331
売上債権・未収入金（△増加）	△8,643	2,649	+11,292
棚卸資産（△増加）	△757	△1,830	△1,072
仕入債務・未払金（+増加）	373	△190	△564
法人税支払	2,228	△1,451	△3,680
その他	1,864	△1,396	△3,261
営業活動によるCF	3,521	△1,109	△4,630
設備投資（有形固定資産）	△838	△2,992	△2,154
その他	△449	30	+479
投資活動によるCF	△1,288	△2,962	△1,674
借入金	500	5,112	+4,612
配当金・自己株式	△1,238	△1,233	+5
その他	△22	△26	△4
財務活動によるCF	△761	3,852	+4,613
現金及び現金同等物の増減額	2,689	△484	△3,174
期末現金及び現金同等物	15,968	18,271	+2,302

	2024年3月期		2025年3月期	
	4-9月	通期	4-9月	通期（予想）
減価償却費	1,335	3,197	1,667	3,100
設備投資（助成金控除後）	838	2,096	2,992	11,100

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

建設仮勘定からの振り替え時

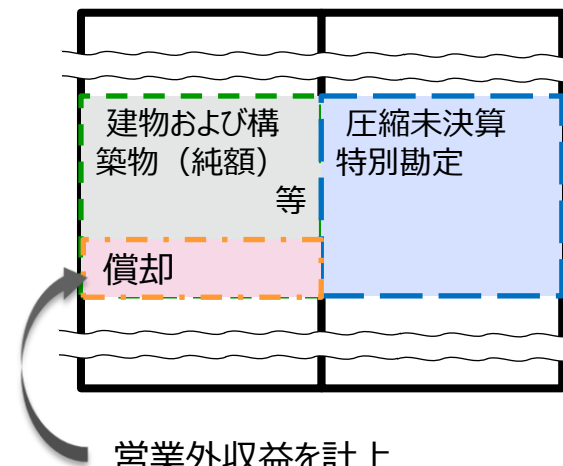
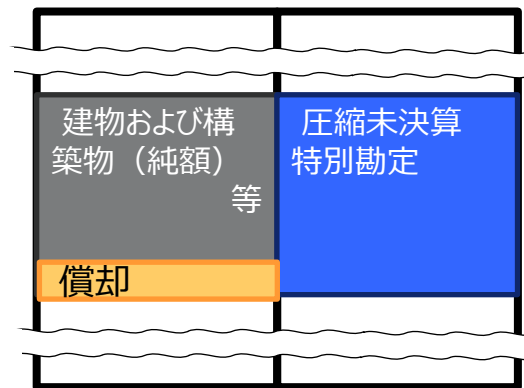
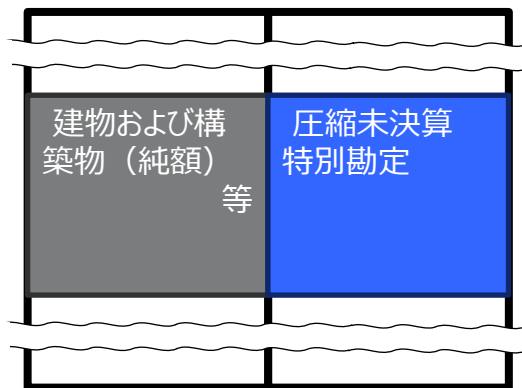
2024年3月末時点

2025年3月末時点（予定）

- 建設仮勘定から有形固定資産に振り替え

- FY2023 2Qの稼働開始に伴い、一部を償却（約6億円）

- 補助金対象分を圧縮未決算特別勘定と相殺（圧縮記帳）
- 償却分を営業外収益として計上



※貸借対照表における補助金対象分のみを図示

AAV	Adeno-Associated Virus	アデノ随伴ウイルス
ASO	Antisense oligonucleotides	アンチセンス核酸
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
CTN	Clinical Trial Notification	治験計画届
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®	-
LNP	Lipid nanoparticle	脂質ナノ粒子
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
siRNA	small interfering RNA	短鎖干渉RNA
TBD	To be determined	未定

- 本資料におきまして、当社に関する業績、その他予想、見通し、目標、計画、その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる可能性があります。
- 本資料には医薬品・医療機器（開発中のものを含む）に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイス等を目的とするものではありません。
- 本資料の数字は百万円以下切り捨て、パーセンテージを任意の位で四捨五入し表示しています。そのため、合計数時に差異が生じる場合があります。