

2026年3月期 第3四半期 決算説明会

2026年1月28日

J C R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 ir-info@jp.jcrpharm.com

- 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。

2026年3月期 第3四半期 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	2025年3月期	2026年3月期			
	Q3累計	Q3累計	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
売上高	25,880	30,353	+4,472	+17.3%	76.8%
売上原価	7,007	6,767	△239	△3.4%	72.0%
売上総利益	18,873	23,585	+4,712	+25.0%	78.4%
販売費及び一般管理費	19,627	23,158	+3,530	+18.0%	78.0%
販売・一般管理費	9,702	9,786	+83	+0.9%	74.1%
研究開発費	9,925	13,372	+3,447	+34.7%	81.0%
営業利益	△754	427	+1,181	-	-
営業外収益	200	895	+694	+345.6%	-
営業外費用	827	611	△216	△26.1%	-
経常利益	△1,380	711	+2,091	-	-
特別利益	1,065	2,091	+1,026	+96.4%	-
特別損失	2	31	+29	-	-
税引前純利益	△317	2,772	+3,089	-	-
法人税等	258	1,028	+769	+297.1%	-
親会社株主に帰属する四半期純利益	△576	1,744	+2,320	-	-
(ご参考) 共同開発先による負担控除前の研究開発費	11,121	14,117	+2,996	+26.9%	79.8%

連結決算概要に関する補足説明

- 売上高は契約金収入が大きく増加
- 売上原価率（契約金除く）は工場の稼働率低下により若干上昇
- 販売・一般管理費は主に共同販促先への手数料等が売上増に伴って増加
- 研究開発費はライセンス権取得に伴う契約一時金の計上により増加
- 営業外収益は主に為替差益の計上により増加
- 特別利益は神戸サイエンスパークセンター（原薬工場）の助成金確定に伴う助成金収入を計上

対売上高	2025年3月期 Q3累計	2026年3月期 Q3累計	増減
売上原価率	27.1%	22.3%	△4.8%
売上原価率 （契約金除く）	25.9%	26.4%	+0.5%
研究開発費率	38.3%	44.1%	+5.7%
営業利益率	△2.9%	1.4%	+4.3%

（単位：百万円）

連結	2025年3月期	2026年3月期			
	Q3累計	Q3累計	前年同期比		年間進捗率
			増減額	増減率	
グロウジェクト®	14,177	13,539	△638	△4.5%	76.1%
イズカーゴ®※	4,456	5,179	+723	+16.2%	80.9%
テムセル®HS注	2,296	2,212	△84	△3.7%	81.9%
腎性貧血治療薬	2,595	2,346	△249	△9.6%	65.2%
エボエチンアルファ BS注「JCR」	1,250	595	△654	△52.4%	54.1%
ダルベポエチン アルファ BS注「JCR」	1,345	1,750	+405	+30.1%	70.0%
アガルシダーゼ ベータ BS点滴静注「JCR」	1,149	863	△285	△24.8%	54.0%
医薬品合計	24,675	24,141	△533	△2.2%	75.2%
契約金収入	517	5,249	+4,732	+914.9%	90.5%
その他※	688	961	+273	+39.7%	-
売上高合計	25,880	30,353	+4,472	+17.3%	76.8%

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®
HS注はいずれも堅調に推移
グロウジェクト®の減収は薬価改定の影響
- 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
- アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」は
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
- 契約金収入は契約一時金や既存の契約におけ
るマイルストーン達成によるもの
- その他の増加はNPSプログラムの売上増によ
るもの

※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

	売上高 (百万円)	営業利益 (百万円)	経常利益 (百万円)	親会社株主に帰属する 当期純利益 (百万円)	1株当たり 当期純利益 (円 銭)
前回発表予想	37,800	2,600	2,400	3,000	24.22
今回修正予想	39,500	400	400	1,600	13.12
増減額	1,700	△2,200	△2,000	△1,400	-
増減率	4.5%	△84.6%	△83.3%	△46.7%	-
(参考) 前期実績 (2025年3月期)	33,072	△6,650	△7,477	△4,759	△38.43

予想数値の修正に関する補足説明

- 売上高：腎性貧血治療薬やファブリー病治療薬等が想定を上回る見込みのため17億円上方修正
- 営業利益：売上原価や販管費の増加により22億円下方修正
 - 売上原価：売上の増加および製品構成の変化等により、前回発表予想から12億円増加する見込み
 - 販売費及び一般管理費：神戸サイエンスパークセンター（原薬工場）の補助金確定に伴い、確定までに発生した減価償却費を計上したこと、および第3四半期までの実績等を踏まえて、前回発表予想から12億円増額修正
 - 研究開発費：Givinostat の独占的ライセンス権取得に伴う契約一時金を第3四半期に研究開発費に計上したため、前回発表予想から15億円増額修正

(単位：百万円)

	前回発表予想	今回修正予想	増減額	増減率	(参考) 前期実績 (2025年3月期)
グロウジェクト®	17,800	17,800	—	—	18,098
イズカーゴ®※	6,400	6,400	—	—	5,718
テムセル®HS注	2,700	2,700	—	—	2,904
腎性貧血治療薬	3,100	3,600	500	16.1%	3,784
エポエチンアルファBS注「JCR」	800	1,100	300	37.5%	1,690
ダルベポエチン アルファBS注「JCR」	2,300	2,500	200	8.7%	2,093
アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」	1,100	1,600	500	45.5%	1,149
医薬品合計	31,100	32,100	1,000	3.2%	31,655
契約金収入	5,500	5,800	300	5.5%	517
その他※	1,200	1,600	400	33.3%	898
売上高合計	37,800	39,500	1,700	4.5%	33,072

※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

- **デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬Givinostatの開発および商業化**
 - 日本における独占的ライセンス契約の締結
- **希少疾病治療薬についての戦略的提携**
 - 両社のポートフォリオの拡充
 - 当社R&Dパイプラインおよび基盤技術における共同機会の探求

1. 2026年1月23日：イタルファルマコ社との契約に関する説明会を開催 ([リンク](#))

1 既存の治療薬とは異なる作用機序

- ・ 遺伝子変異に依存せず使用可能なHDAC阻害剤

2 海外での承認実績

- ・ 米国、EU、その他主要国での承認¹
- ・ プラセボ対照の臨床試験で示されたエビデンス

3 当社の強みとの相乗効果

- ・ 小児・希少疾病領域での豊富な開発経験
- ・ DMD患者をフォローする医師との強固なネットワーク
 - 既存製品の営業において、DMD患者のフォロー施設を60%以上カバー済み（当社調べ）

4 大きな商業的ポテンシャル

- ・ 日本のDMD患者総数：約3,500名²
 - 6歳以上のDMD患者：3,000名以上³
 - 6歳以上かつ歩行可能なDMD患者：1,000名以上³

DMD, duchenne muscular dystrophy (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

1. 米国：6歳以上のDMD患者を適応として承認、EU：ステロイドを併用している6歳以上の歩行可能なDMD患者を適応として条件付き承認

2. 川井 充. 脳と発達. 2013;45(Suppl.):S324.

3. 右記情報を基に当社にて算出（Remudy (Registry of Muscular Dystrophy) およびNakamura H et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013;8:60)

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）	<div>Global Ph3</div>				<ul style="list-style-type: none">～2027年度 米国・欧州・ブラジルでの承認予定
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	<div>Ph3（日本）</div>				<ul style="list-style-type: none">患者登録は順調に進行中
JR-171	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群 等）	<div>Global Ph1/2 completed</div>				<ul style="list-style-type: none">導出に向けて交渉中
JR-441	ムコ多糖症IIIA型（サンフィリッポ症候群A型）	<div>Ph1/2（ドイツ）</div>				<ul style="list-style-type: none">Ph1/2：当初予定していた投与群での1年間の臨床データを取得Ph1：目標症例数の登録完了日本での早期の承認取得を目指して対応中
		<div>Ph1（日本）</div>				
JR-446	ムコ多糖症IIIB型（サンフィリッポ症候群B型）	<div>Ph1/2（日本）</div>				<ul style="list-style-type: none">最初のコホートの患者登録を完了日本での早期の承認取得を目指して対応中メディカルホールディングスに導出
JR-471	フコシドーシス	<div></div>				<ul style="list-style-type: none">自然歴研究を開始メディカルホールディングスに導出
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）	<div></div>				<ul style="list-style-type: none">メディカルホールディングスに導出
Givinostat	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	<div>US、EU等で承認取得済み</div>				<ul style="list-style-type: none">2028年までの国内承認取得を目指し、開発計画を当局と相談中

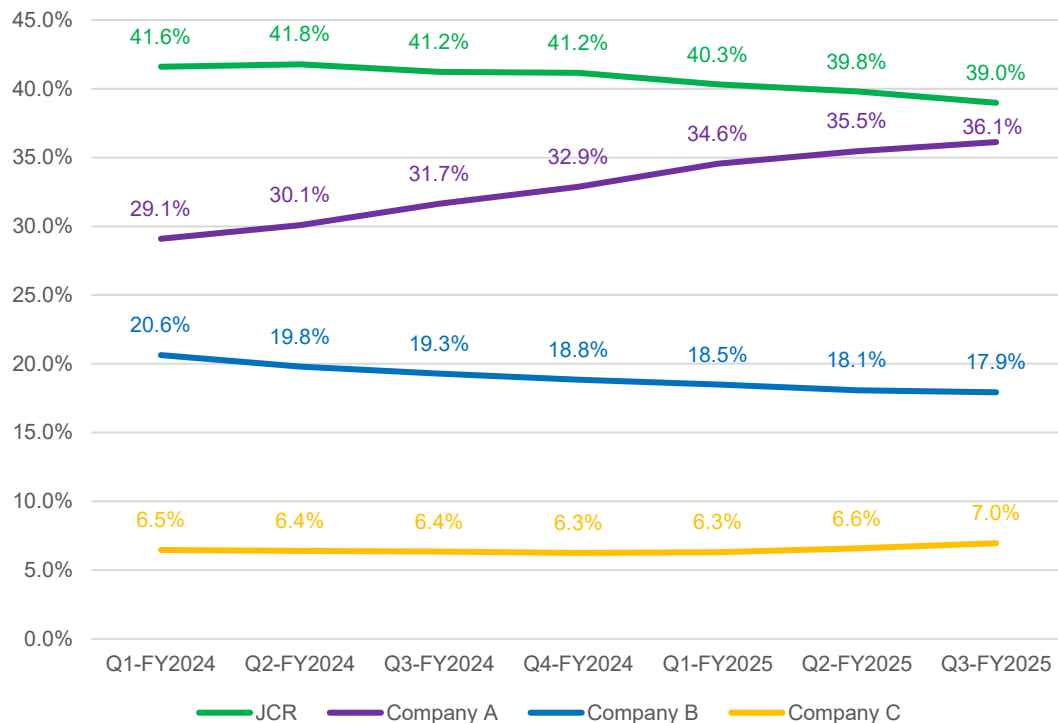
50th
ANNIVERSARY



Life is Rare

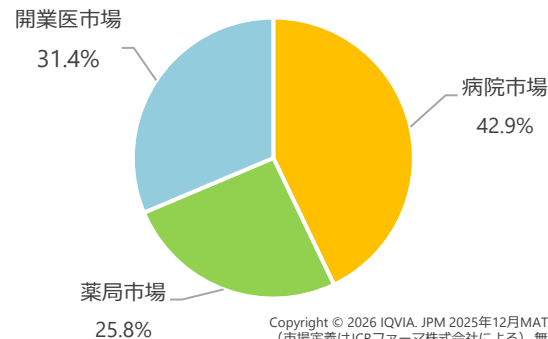
Appendix

国内GH市場シェア推移（FY2024 Q1～FY2025 Q3）※薬価ベース



Copyright © 2026 IQVIA, JPM(2024年4月～2025年12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

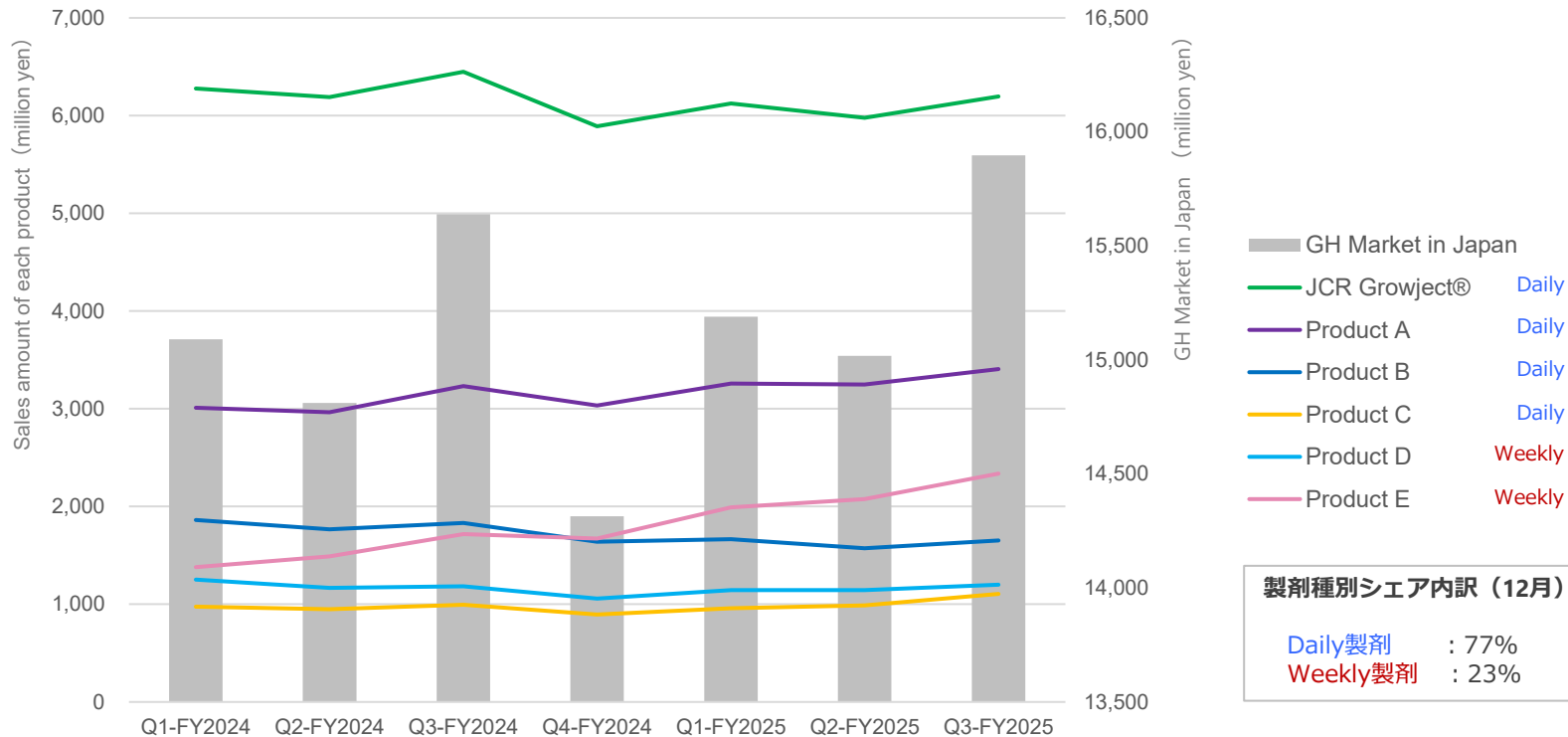


■各市場別 グロウジェクト®獲得シェア

	2025年 12月時点	FY2025 Q3売上増減 (vs FY2024 Q3売上) ※薬価ベース
病院市場	31.9%	-162百万円
薬局市場	28.0%	-21百万円
開業医市場	56.9%	-68百万円

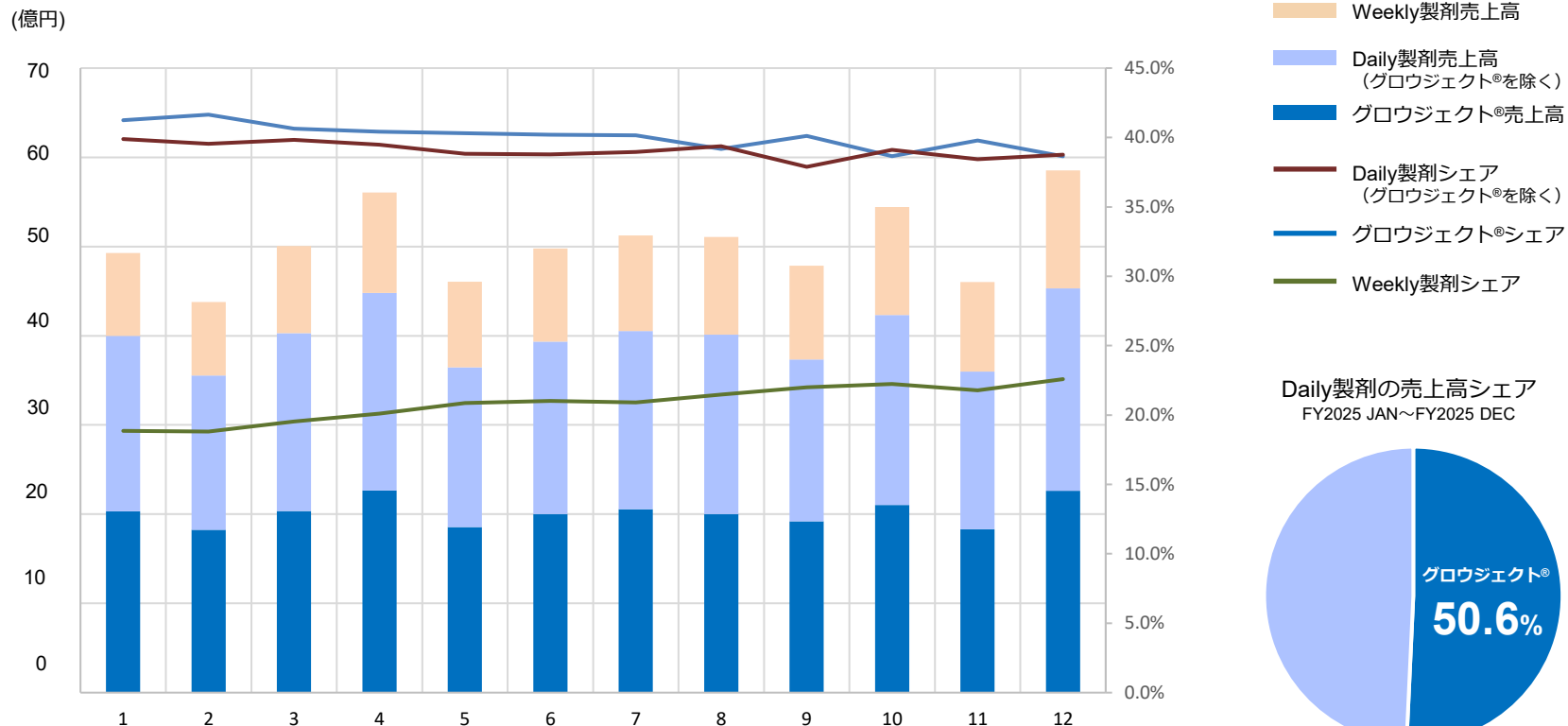
Copyright © 2026 IQVIA, JPM (2025年10月-2025年12月)を基に作成
(市場定義はJCRファーマ株式会社による) 無断転載禁止

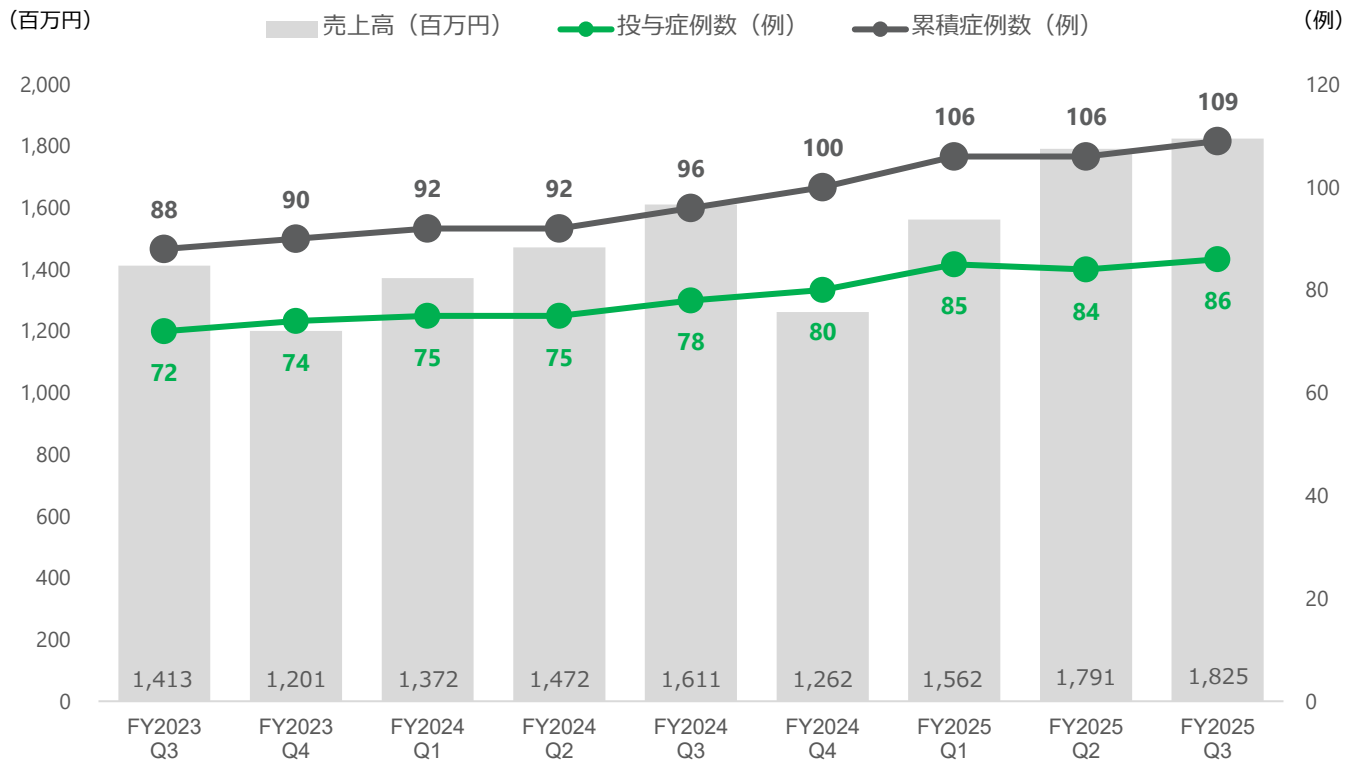
国内GH市場推移（FY2024 Q1～FY2025 Q3）※薬価ベース



製剤種別シェア内訳（12月）

Daily製剤 : 77%
Weekly製剤 : 23%







Approval of IZCARGO™

Gene therapy partnership
with Takeda (until 2024)

JBC partnership with Alexion
(Oligonucleotides)



JBC partnership with
Alexion (Neuro)



Gene therapy capsid partnership
with Alexion



Givinostat partnership (Japan)
Strategic partnership

2021

2022

2023

2025

JR-141 partnership
with Takeda (until 2024)

Ultra rare disease partnership
with MEDIPAL



MEDIPAL

JBC partnership with
Angelini (epilepsy)



Angelini
Pharma

Neurodegeneration partnership
with Acumen





Italfarmaco S.p.A

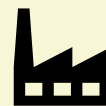
- 1938年設立（イタリア、ミラノ）の非上場グローバル製薬企業
- 処方薬および一般用医薬品の開発、製造、マーケティング、販売
- 免疫腫瘍、神経科、心血管疾患を含む多くの領域で実績を確立
- 希少疾病部門では、筋ジストロフィー、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、真性多血症のプログラムを展開



従業員数
>4000名



事業展開
>90カ国



製造サイト
6施設



R&D部門
>300名

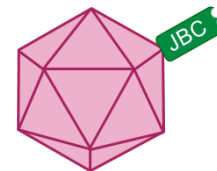
2025年7月

アレクシオン社とJUST-AAV技術に関するライセンス契約を締結



- アレクシオン社は、**最大5つまでの同社の遺伝子治療プログラム**に対してライセンスを受けたJUST-AAVカプシドを適用可能
- 最大で8億2,500万米ドル**のマイルストーンフィー
 - 研究開発マイルストーンフィー : 最大 2億2,500万米ドル
 - 販売マイルストーンフィー : 最大 6億米ドル

JUST-AAV



目的とする組織・臓器への指向性を有し
かつ特定の組織・臓器への移行性を低減したAAV

AAV: アデノ随伴ウイルス
JBC: J-Brain Cargo®

神経変性疾患、核酸医薬品の共同研究に続く
アレクシオン社との第三のパートナーシップ

2025年7月

アキュメン社とJ-Brain Cargo®技術に関するライセンスのオプション契約を締結



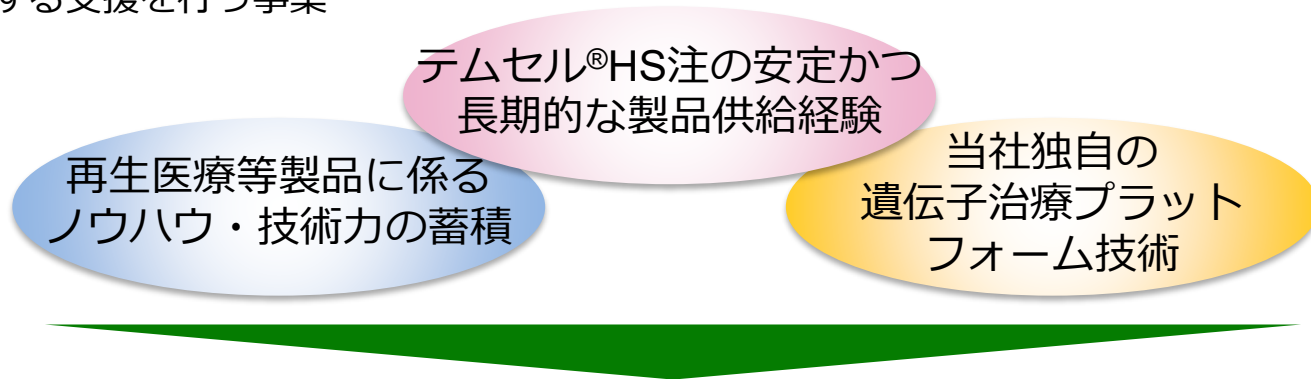
- **血液脳関門通過型アルツハイマー病治療薬の開発が目的**
 - アキュメン社のAβO選択的抗体と、血液脳関門通過技術であるJ-Brain Cargo®の組み合わせ
 - J-Brain Cargo®適用の対象となるアルツハイマー病治療薬候補は最大2つ
 - 候補のひとつsabinetugについては、アキュメン社が臨床第II相試験を進行中
- **最大で5億5,500万米ドルのマイルストーンフィー**
 - 開発マイルストーンフィー : 最大 4,000万米ドル
 - 販売マイルストーンフィー : 最大 5億1,500万米ドル

AβO: アミロイドベータオリゴマー
アルツハイマー病の発症と進行の主要な病理学的
要因である、毒性のある可溶性タンパク質

当社独自の血液脳関門通過技術を用いて
最も困難な医療課題のひとつであるアルツハイマー病に挑む

再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備支援事業費補助金 (再生CDMO補助金)

- ・ 経済産業省による事業のひとつ
- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療製品に関するCDMOの国内受託製造拠点の整備や製造人材育成に対する支援を行う事業

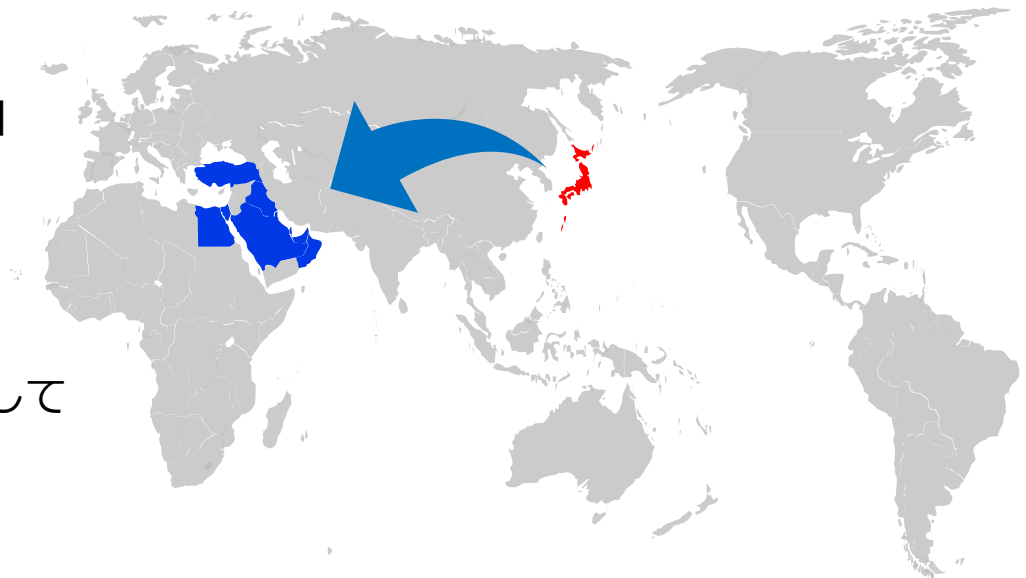


**当社のみが提供しうる新たな価値を実現すべく
製造設備投資を進める**

アガルシダーゼ ベータBS点滴静注「JCR」

- ・ ファブリー病治療酵素製剤のバイオ後続品
- ・ 2018年より日本国内で販売中

中東・トルコ・北アフリカの9カ国*に関して
Menagen Pharmaceutical Industries LLCと
独占的な開発・販売権の許諾契約を締結



日本での製造販売承認を活用し
契約地域での製造販売承認申請および販売活動をMenagen社が実施

* サウジアラビア王国、アラブ首長国連邦、オマーン国、クウェート国、カタール国、バーレーン王国、トルコ共和国、イラク共和国、エジプト・アラブ共和国

1 一般名 : Givinostat (海外での製品名 : Duvyzat)

- ・ ヒストン脱アセチル化酵素 (HDAC) の阻害剤
- ・ 経口投与の非ステロイド剤 (1日2回)

2 海外の適応症

- ・ 6歳以上のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者
- ※EU : ステロイドを併用する歩行可能な6歳以上の患者に限定

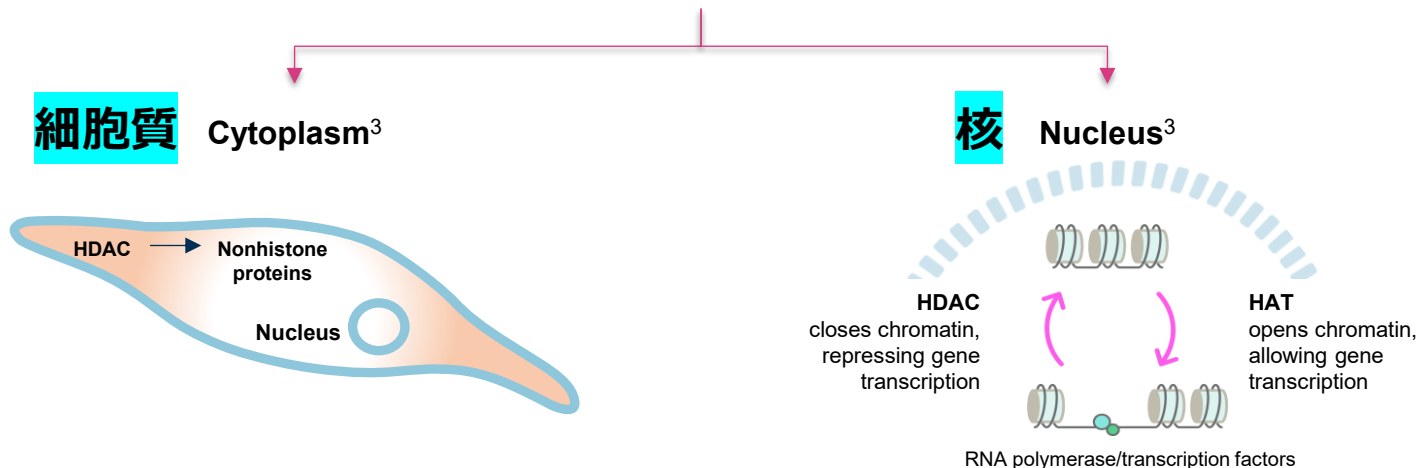
3 承認状況

- ・ 米国 (2024年3月)
- ・ EU (2025年6月 条件付き承認)
- ・ その他、イギリスを含む複数カ国で承認済み
- ・ 本邦では未承認

4 特徴

- ・ 複数の疾患修飾エピジェネティック作用により、DMD患者の遺伝子変異に依存せず使用可能
- ・ ステロイドとの併用

HDACは、細胞質内および核内での活性により筋恒常性の調節を助ける^{1,2}



HDACは、ヒストンおよび非ヒストンタンパク質の両方に作用することで細胞内の恒常性（ホメオスタシス）を調節する⁴

- 転写因子のアクセスを低下させる⁵
- タンパク質の安定性や局在化、転写因子、ホルモン受容体、ミトコンドリアタンパク質、酵素活性、mRNAの安定性、の調節⁴

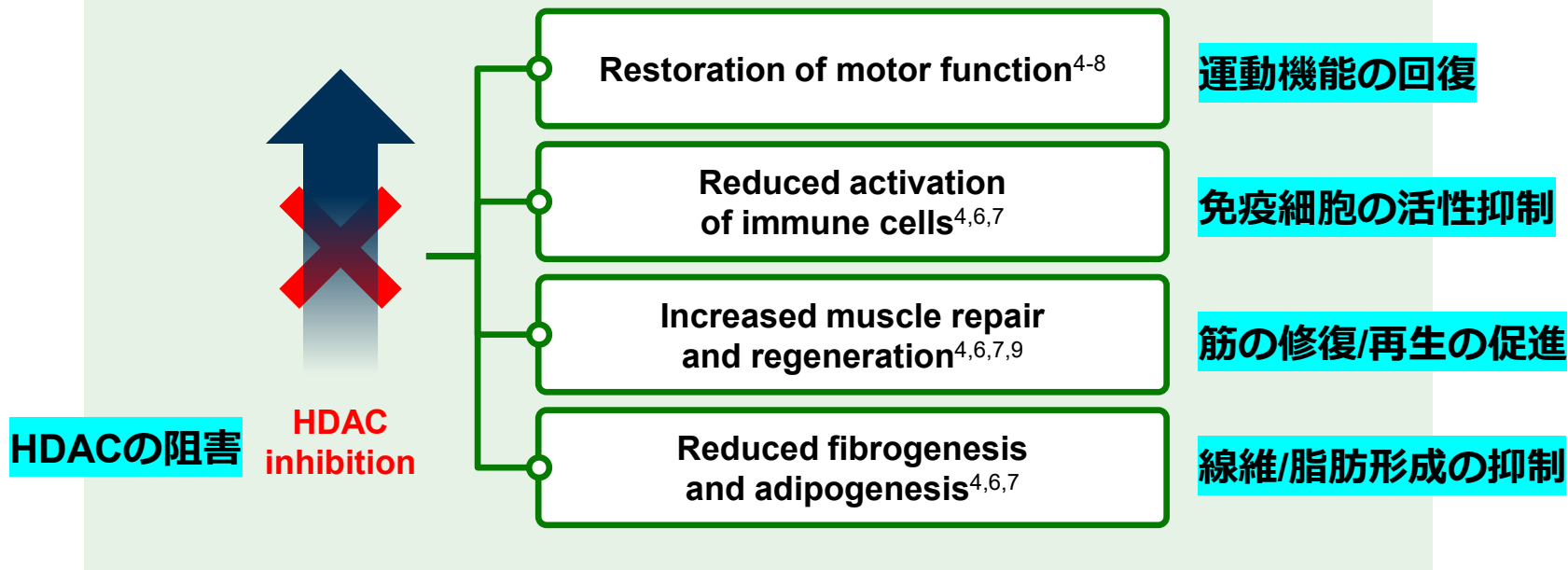
*HDAC and HAT work in balance to regulate the expression of muscle repair factors.

HAT, histone acetyltransferase; HDAC, histone deacetylase; mRNA, messenger ribonucleic acid; RNA, ribonucleic acid.

1. Consalvi S, et al. *Mol Med.* 2011;17(5-6):457-465. 2. Kodippili K, et al. *Front Physiol.* 2023;14:1180980. 3. Sandonà M, et al. *Int J Mol Sci.* 2023;24(5):4306. 4. Milazzo G, et al. *Genes.* 2020;11(5):556.

5. Ceccacci E, et al. *Br J Cancer.* 2016;114(6):605-11.

HDACの阻害により、DMDの病理学的イベントを抑制する^{1,3}

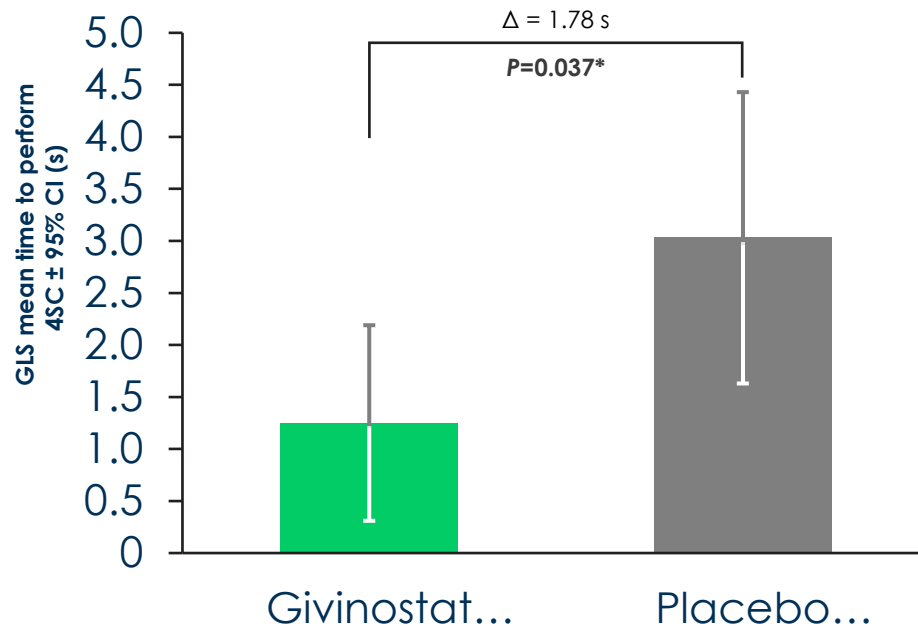


DMD, Duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase.

1. Consalvi S, et al. *Mol Med*. 2011;17(5-6):457-465.
2. Kodippili K, et al. *Front Physiol*. 2023;14:1180980.
3. Sandonà M, et al. *Int J Mol Sci*. 2023;24(5):4306.
4. Wilson DGS, et al. *Commun Biol*. 2022;5(1):1022.
5. Campbell KP, et al. *Nature*. 1989;338(6212):259-262.
6. Guiraud S, et al. *Exp Physiol*. 2015;100(12):1458-1467.
7. Reid AL, et al. *Life*. 2021;11(7):648.
8. Ervasti JM, et al. *J Cell Biol*. 1993;122(4):809-823.
9. Sandonà M et al. *EMBO Rep*. 2020;21(9):e50863.

72週時点におけるベースラインからの平均変化量(非対数変換)

- Givinostat + コルチコステロイドは、
プラセボ + コルチコステロイドと比較
して、72週時点において、4SC試験
時間の悪化を1.78秒減少させた



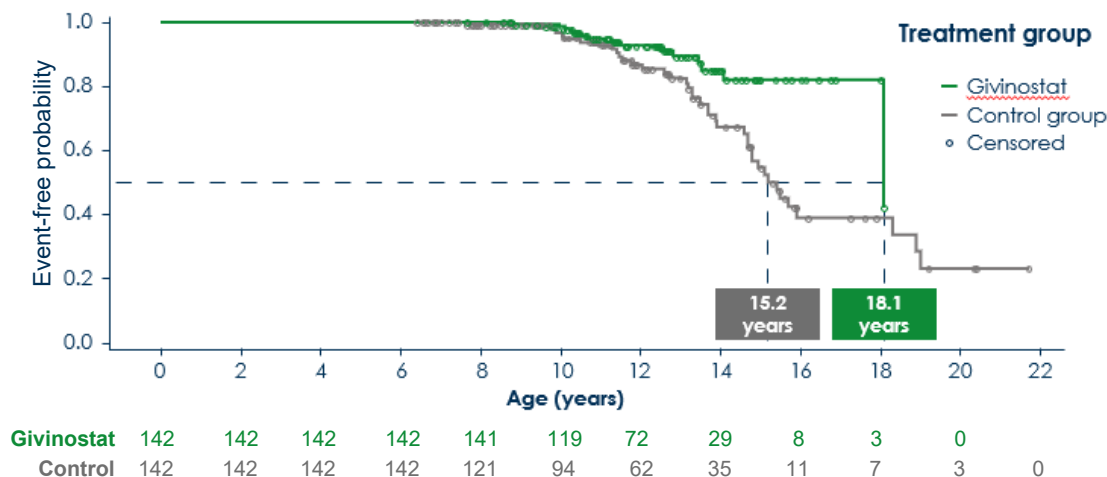
*Data are means and 95% confidence intervals. The confidence intervals have not been adjusted for multiplicity and should not be used for hypothesis testing. Baseline mean values were 3.39 s and 3.48 s for the givinostat and placebo groups, respectively. All patients were also receiving systemic corticosteroids in a dose and regimen that was to remain unchanged over the follow-up period.

4SC, 4-stair climb; GLS, geometric least squares; s, seconds.

1. Mercuri E et al. *Lancet Neurol.* 2024;23(4):393-403.

- Givinostatとコルチコステロイド（標準治療）を併用した患者では、標準治療単独の患者と比較して、歩行能力が2.9年間維持された

（ハザード比 0.42; 95%信頼区間 0.23-0.76; $P=0.004$ ）



Parameter	Givinostat (n=142)	Control (n=142)
Patients, n (%)		
Assessed	142 (100)	142 (100)
Who lost ambulation	14 (9.9)	39 (27.5)
Censored	128 (90.1)	103 (72.5)
Age at loss of ambulation, years		
Median (95% CI)	18.1 (18.09, NE)	15.2 (14.70, 18.31)
P-value	0.004	
HR (95% CI)*	0.42 (0.23, 0.76)	

*HR and associated 95% CI and P value are obtained from a Cox proportional hazards model, including the treatment group as an independent classification factor.

HR, hazard ratio; NE, not estimable.

1. McDonald CM, et al. *Ann Clin Transl Neurol*. Published online August 19, 2025.

2. EPIDYS studyを含むデータを用いて自然歴研究との比較を行ったpost hoc analyses（事後解析）

AAV	Adeno-associated virus	アデノ随伴ウイルス
AβO	Amyloid beta oligomer	アミロイドベータオリゴマー
BBB	Blood-brain barrier	血液脳関門
CDMO	Contract development and manufacturing organization	医薬品開発製造受託機関
CNS	Central nervous system	中枢神経系
GFP	Green fluorescent protein	緑色蛍光タンパク質
GHD	Growth hormone deficiency	成長ホルモン分泌不全性低身長症
GOI	Gene of interest	ウイルスベクター内に封入する遺伝子配列
i.v.	Intravenous injection	静脈注射
JBC	J-Brain Cargo®	-
MENAT	Middle East, North Africa and Turkey	中東、北アフリカ、トルコ
MPS	Mucopolysaccharidosis	ムコ多糖症
mRNA	messenger RNA	伝令RNA
NPS	Named patient supply	特定の患者への医薬品提供プログラム
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
R&D	Research and development	研究開発
VG	Viral genome	ウイルスゲノム
YTD	Year to date	年度累計