ＪＣＲファーマ株式会社

Givinostat アップデート説明会

2026 年 7 月 15 日

イベント概要

[企業名]	ＪＣＲファーマ株式会社
[企業 ID]	4552
[イベント言語]	JPN
[イベント種類]	アナリスト説明会
[イベント名]	Givinostat アップデート説明会
[決算期]	
[日程]	2026 年 7 月 15 日
[ページ数]	28
[時間]	11:00 – 11:54 （合計：54 分、登壇：16 分、質疑応答：38 分）
[開催場所]	インターネット配信
[会場面積]	
[出席人数]	
[登壇者]	4 名 代表取締役会長　芦田　透　（以下、芦田） 代表取締役社長 チーフサイエンティフィックオフィサー　薗田　啓之（以下、薗田） 常務執行役員 経営戦略本部長　伊藤　洋　（以下、伊藤）

エキスパートフェロー 経営戦略本部 新製品企画室長

谷澤　和紀（以下、谷澤）

[アナリスト名]*	モルガン・スタンレーMUFG 証券	村岡　真一郎
（敬称略）	大和証券	橋口　和明
	SBI 証券	川村　龍太
	ジェフリーズ証券	山木田　雅
	東京海上アセットマネジメント	水野　要
[記者名]*	医薬通信社	石井　喜行
（敬称略）	日経 BP	山地　紀香
	薬事日報社	岡田　浩一
	東洋経済新報社	印南　志帆
	ミクス	早瀬　悠里

*質疑応答の中で発言をしたアナリスト・記者、または質問が代読されたアナリスト・記者の中で、当社が特定出来たものに限る

登壇

司会：ただ今より、ＪＣＲファーマ株式会社、Givinostat アップデート説明会を開催いたします。

説明会の開始前にお断り申し上げます。本日のプレゼンテーションおよび質疑応答に関しては、後日、弊社公式ホームページにてスクリプトおよび動画の配信を行います。

また、本日の説明におきましては、現時点の予想に基づく将来の見通しを述べる場合がありますが、それらは全てリスクならびに不確実性を伴っていることをあらかじめご了承ください。本日の説明および使用する資料は、株主、投資家や報道関係者の皆様への情報提供を目的としたものであり、宣伝広告や医学的アドバイス等を目的とするものではございません。

それでは、本日の登壇者をご紹介いたします。代表取締役会長、芦田透。

芦田：芦田でございます。

司会：代表取締役社長、薗田啓之。

薗田：薗田です。よろしくお願いします。

司会：常務執行役員、経営戦略本部長、伊藤洋。

伊藤：伊藤です。よろしくお願いいたします。

司会：エキスパートフェロー、経営戦略本部、新製品企画室長、谷澤和紀。

谷澤：谷澤です。よろしくお願いいたします。

司会：以上 4 名でございます。

本説明会にて使用する資料は、弊社ホームページに本日掲載いたしました。恐れ入りますが、お手元に資料が必要な方はそちらをご参照ください。

プレゼンテーションは、質疑応答を含め約 1 時間を予定しております。質疑応答のお時間は 40 分程度を予定しており、プレゼンテーション終了後にご質問をまとめてお受けいたします。

それでは、初めに芦田よりごあいさつを申し上げます。よろしくお願いいたします。

芦田：あらためまして、本日はお忙しい中説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。会長の芦田透でございます。

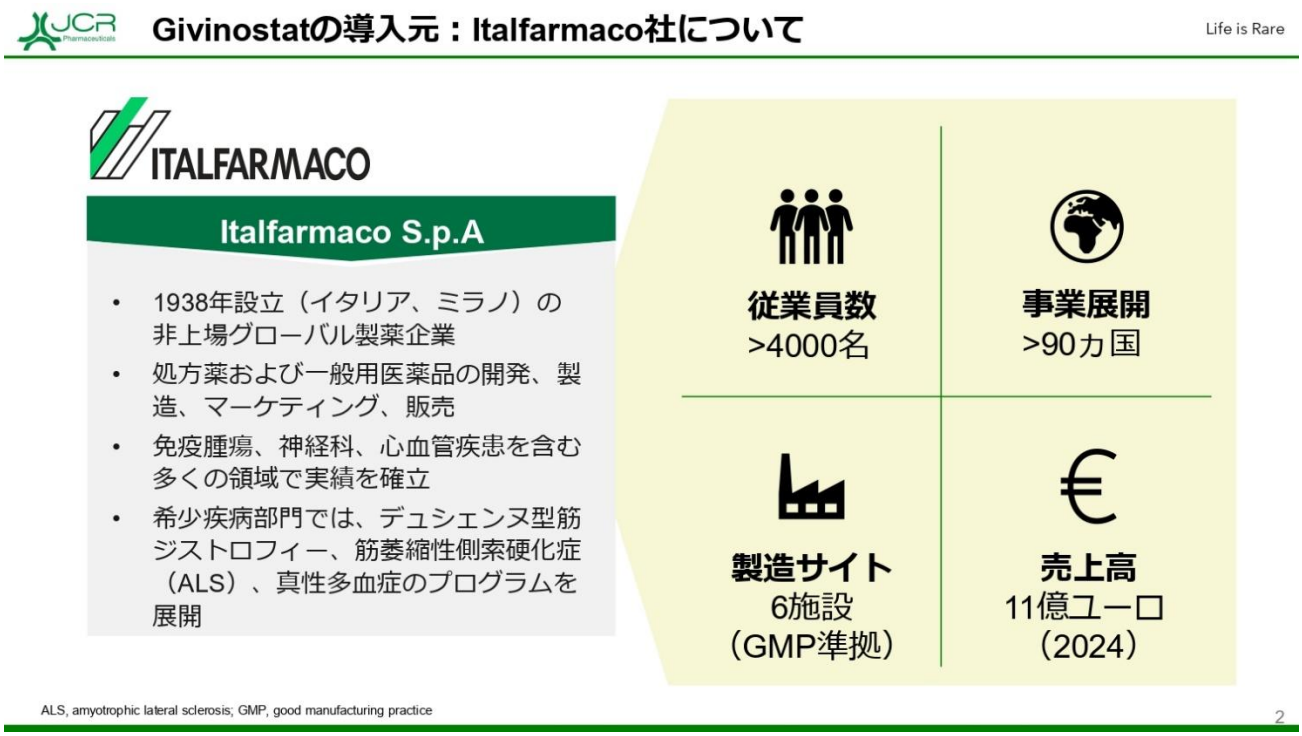
今朝ほど発表させていただきましたとおり、弊社は Italfarmaco 社から導入しました、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬、Givinostat につきまして、国内開発計画を決定いたしました。PMDA との相談も踏まえ、導入元の Italfarmaco 社とともに検討を重ねてきました。

その結果、これまでお伝えしていた時期を前倒しして本年中に申請、2027 年内の承認取得および販売開始を目指してまいります。

Givinostat は既に FDA や EMA で承認をされております。この薬剤の上市によりまして、日本でのドラッグロスを解消し、ドラッグラグを短くすることで患者さんのアンメット・メディカル・ニーズの充足に貢献できるものと考えております。

また、弊社の収益構造にとりましても、将来の売上、利益の姿を大きく変え得るポテンシャルを有する、大変期待のできる大きな製剤でございます。

この後、社長の薗田より、開発計画の詳細につきましてご説明をさせていただきます。本日はどうぞよろしくお願いいたします。

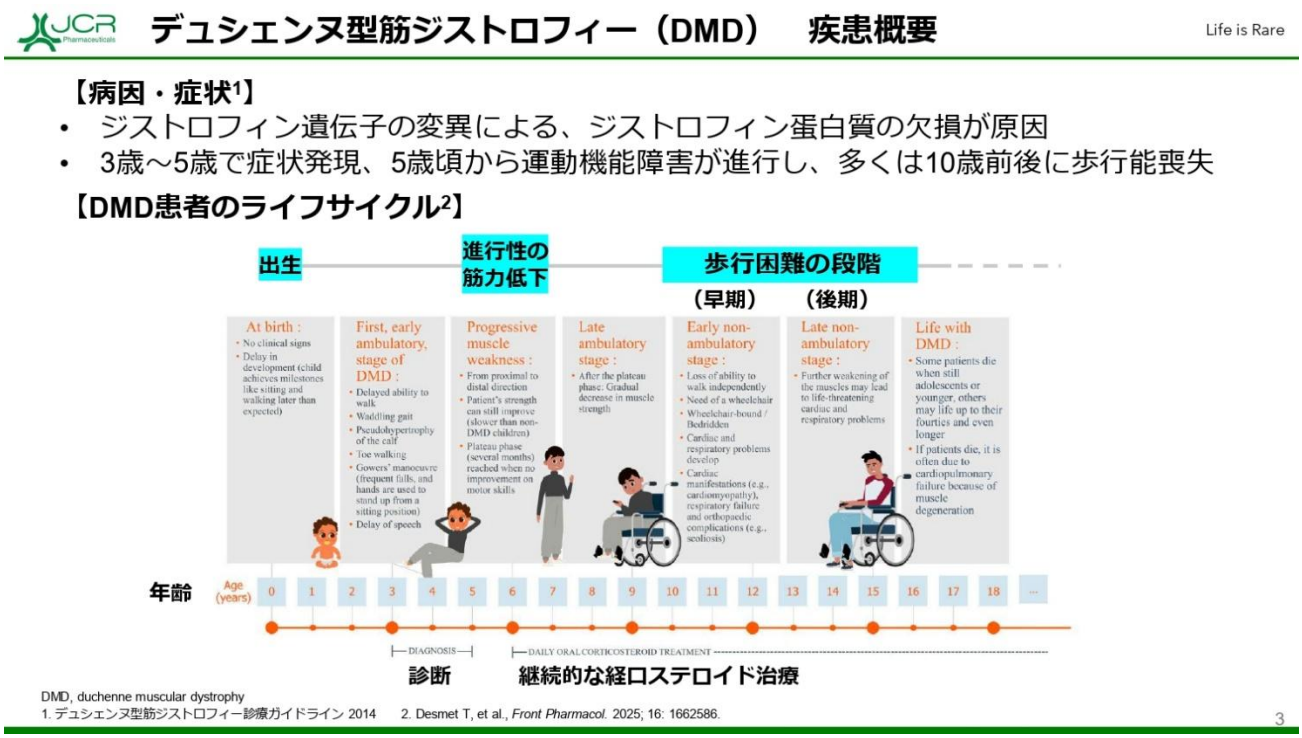


薗田：薗田でございます。皆さん、よろしくお願いします。それでは私から、Givinostat アップデートの説明をさせていただきたいと思います。

まずは、Givinostat の導入元、Italfarmaco 社について少し説明したいと思います。

ここに記載しているとおり、1938 年に設立された、イタリアのミラノをベースにしている非上場のグローバルの製薬企業になります。90 カ国以上で事業展開をしていまして、医薬品の開発、製造、マーケティングそして販売、こういったことを行っています。

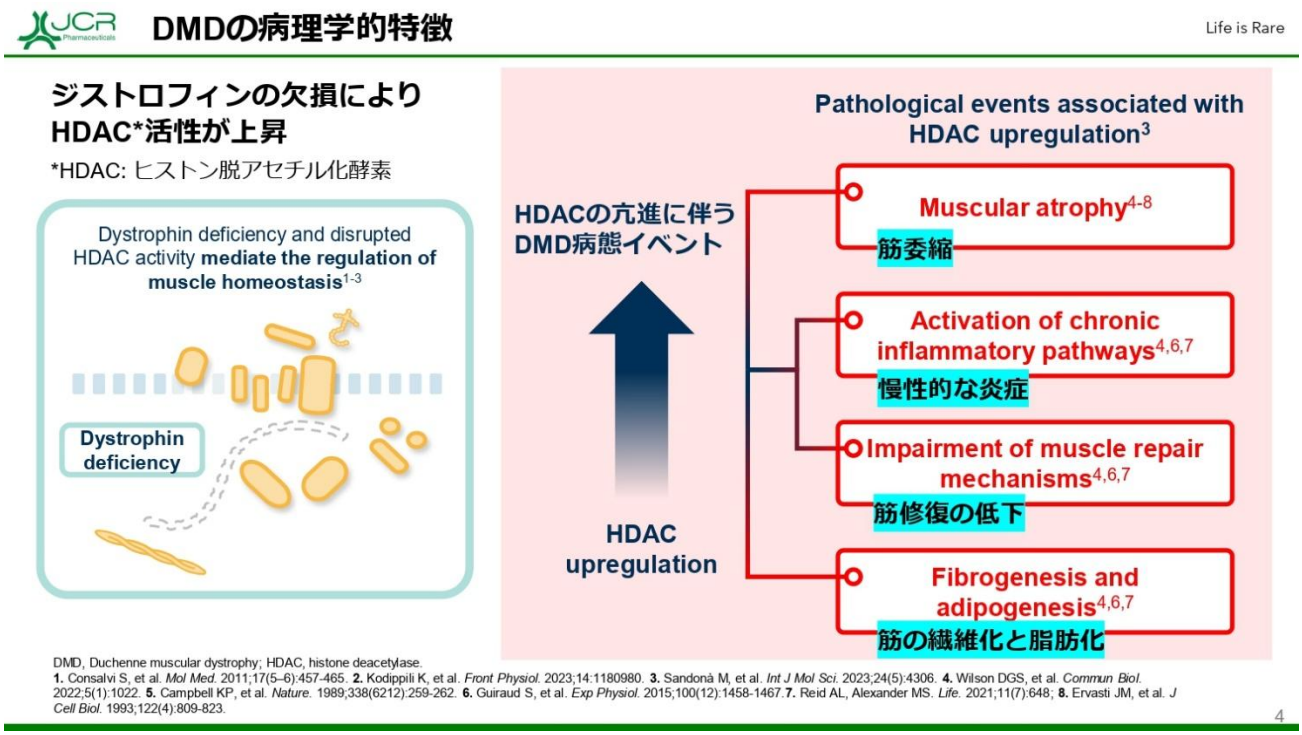
いろいろな分野で薬剤を彼らは開発、販売をしていますが、そのうちの一つが希少疾患。その中にデュシェンヌ型筋ジストロフィー、そしてこの Givinostat があるということになります。



この Givinostat、デュシェンヌ型筋ジストロフィー、DMD と言いますけれども、これの治療薬になります、DMD がどういった疾患なのかをこのスライドで示しています。

DMD は、ジストロフィン蛋白が欠損して起こります。ですので、ジストロフィン遺伝子が変異もしくは欠損している、いわゆる遺伝病の一つだと言えるかと思います。3 歳から 5 歳で症状が出てきて、5 歳頃から運動機能が障害され、そして多くの患者さんで、10 歳前後で歩行ができなくなると言われています。

生まれたときからある遺伝子が欠損している遺伝病ですので、生まれたときから症状が少しずつ進んでいって、最終的に歩けなくなるといった、そういった病気になります。



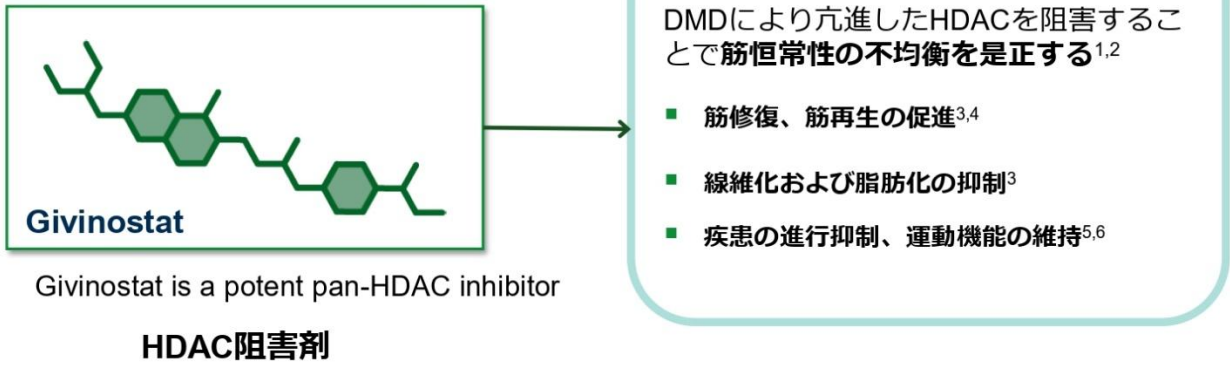
この DMD の病理学的な特徴をこのスライドで示しています。

先ほどお話ししたように、ジストロフィンという蛋白がつくれません。これがなくなることにより、その後、いろいろとカスケードがあるのですが、結果としてヒストン脱アセチル化酵素、HDAC と書いてエイチダックと読みますが、この HDAC の活性が上昇します。

この HDAC というのは、もともとは筋肉の中でコントロールされているわけです。これがコントロールされていないと、いろいろな遺伝子の発現が正常に行われないので、これは非常にクリティカルなことになります。つまりジストロフィンがないことで、構造としても弱くなるのですが、また別の意味でジストロフィンがないことで、この HDAC という活性が上がってしまって、それによっていろんな症状が出てくるということになります。

この剤はジストロフィンそのものを助けるわけではなくて、ジストロフィンがなくなることで起こる他のイベント、こういったものをレスキューするといった薬剤になります。

どんなイベントが起こるのかというのが右側に示されていて、ここに書いてあるとおりです。筋萎縮、慢性的な炎症、筋修復能力の低下、そしてその結果、筋の線維化、脂肪化が起こってきます。こういったイベントが HDAC 活性が上がることによって出てくるということになります。



DMD, Duchenne muscular dystrophy; HDAC, histone deacetylase.
1. Consalvi S et al. *Mol Med.* 2011;17(5-6):457-465. **2.** Kodippili K, Rudnicki MA. *Front Physiol*. 2023;14:1180980. **3.** Bettica P et al. *Neuromuscul Disord*. 2016;26(10):643-649. **4.** Sandonà M et al. *EMBO Rep.* 2020;21(9):e50863.
5. Mercuri E et al. *Lancet Neurol*. 2024;23(4):393-403. **6.** ClinicalTrials.gov. NCT02851797. Updated 2 February 2023. Available at https://clinicaltrials.gov/study/NCT02851797. Accessed August 1, 2024.

この現象を抑える薬剤が Givinostat。左側が分子の構造式になります。

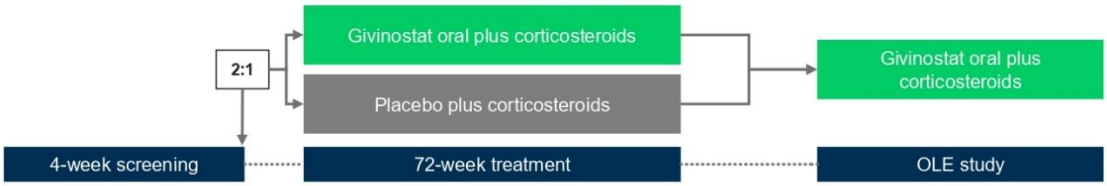
先ほど HDAC が上昇して困るという話をしましたが、その上昇を抑える、HDAC を阻害する、HDAC 阻害剤ということになります。

先ほどの裏返しですけれども、その上昇を抑えますので、右側になりますが、筋の修復再生が促進されて、筋の繊維化、そして筋の脂肪化というものが抑制され、その結果として疾患の進行が抑制されて、歩行等の運動機能が維持されるということになります。

EPIDYS Study：海外臨床第III相試験のデザイン[1-3]

Life is Rare

- 無作為化二重盲検並行群間プラセボ対照試験
- 179名の歩行可能な男児を2:1で無作為に割付（Givinostat投与群：プラセボ投与群）
- コルチコステロイドの併用下、Givinostatまたはプラセボを投与



OLE, open-label extension.
1. Mercuri E et al. *Lancet Neurol*. 2024;23(4):393-403. **2.** ClinicalTrials.gov. NCT02851797. Updated February 2, 2023. Accessed May 9, 2024. https://clinicaltrials.gov/study/NCT02851797
3. Vandenborne K. Oral presentation at Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference; March 19-22, 2023; Dallas, TX, USA.

6

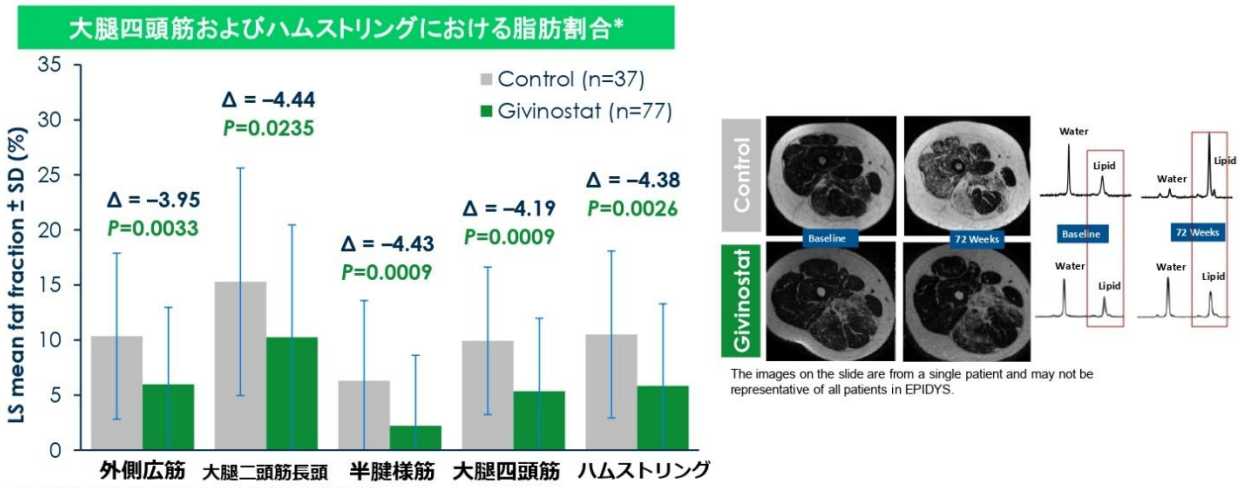
この薬剤の有効性を示したのがこの臨床試験です。

今回お示しするのは、Italfarmaco 社が実施した海外の臨床第 III 相試験になります。ここに示しているのはそのデザインです。無作為化のダブルブラインド（二重盲検）の試験で、179 名の患者さんをリクルートしています。プラセボと実薬群で比較をしていると。72 週間の投薬期間を設けて比較をして、結果を見ているという試験になります。

EPIDYS Study: 歩行に必要な主要な筋組織での脂肪浸潤の減少

Life is Rare

Givinostat は、歩行機能に重要な5つの筋において、対照群と比較して脂肪割合を低下させた（72週時点）



The images on the slide are from a single patient and may not be representative of all patients in EPIDYS.

*P-values are nominally significant, but not statistically significant.
LS, least squares; SD, standard deviation
Vandenborne K. Oral presentation at Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference; March 19-22, 2023; Dallas, TX, USA.

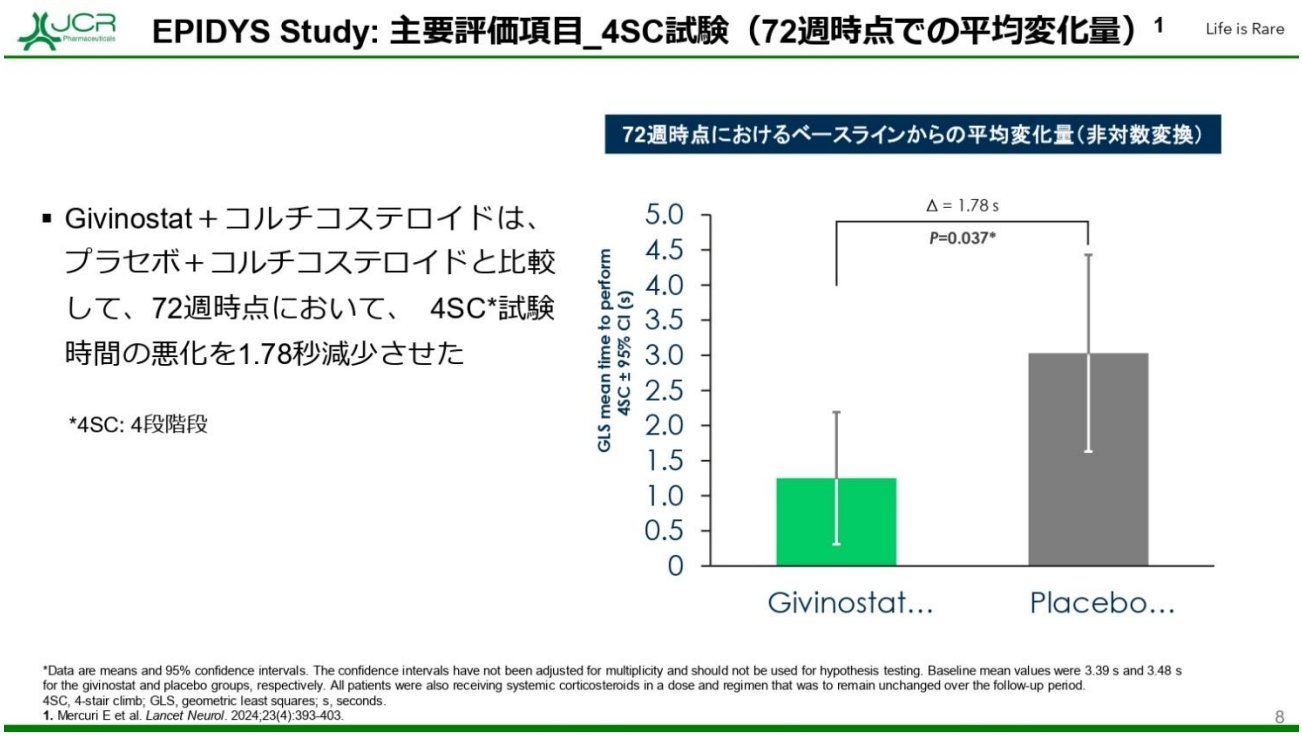
7

その結果です。ここに示しているのは脂肪化のところです。筋組織での脂肪化を抑制しましたというデータになります。

この下の図の右側、これはイメージングの絵になります。ここでは灰色で示されているコントロールというのがプラセボ群、緑が Givinostat を投与した群になります。72 週間でどれぐらい筋肉が脂肪化していっているのか、というのを測定しているわけです。

それをプロットしたのが左側の棒グラフになります。ここでも同じく、灰色と緑を比べて、灰色のバーが高ければ高いほど脂肪化が進んでいるということになりますので、低いほうがいいということになります。

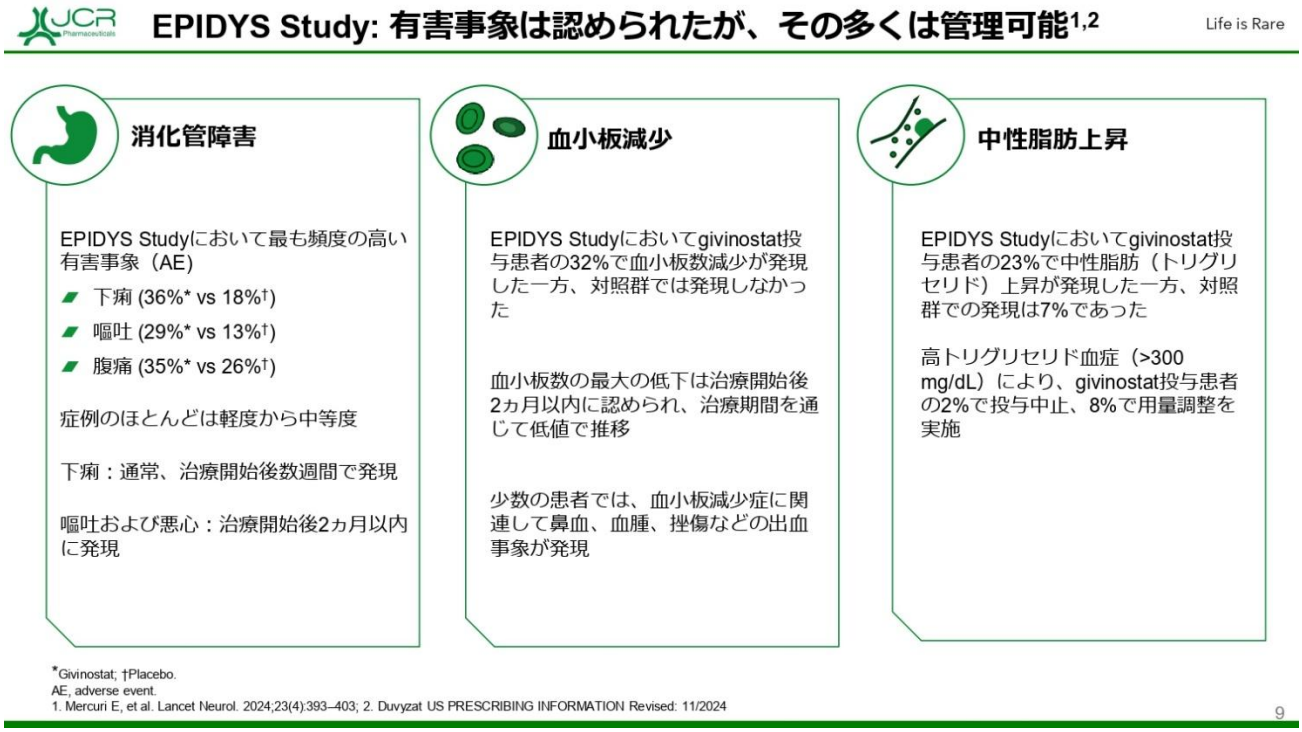
プラセボが灰色、実薬、Givinostat が緑色。ここで見ていただくとおり、緑色の Givinostat を投与した群のほうが、脂肪化が進んでいない、抑制されていると。筋肉が維持されているということになります。



それがどう表現型に結び付いているのか。

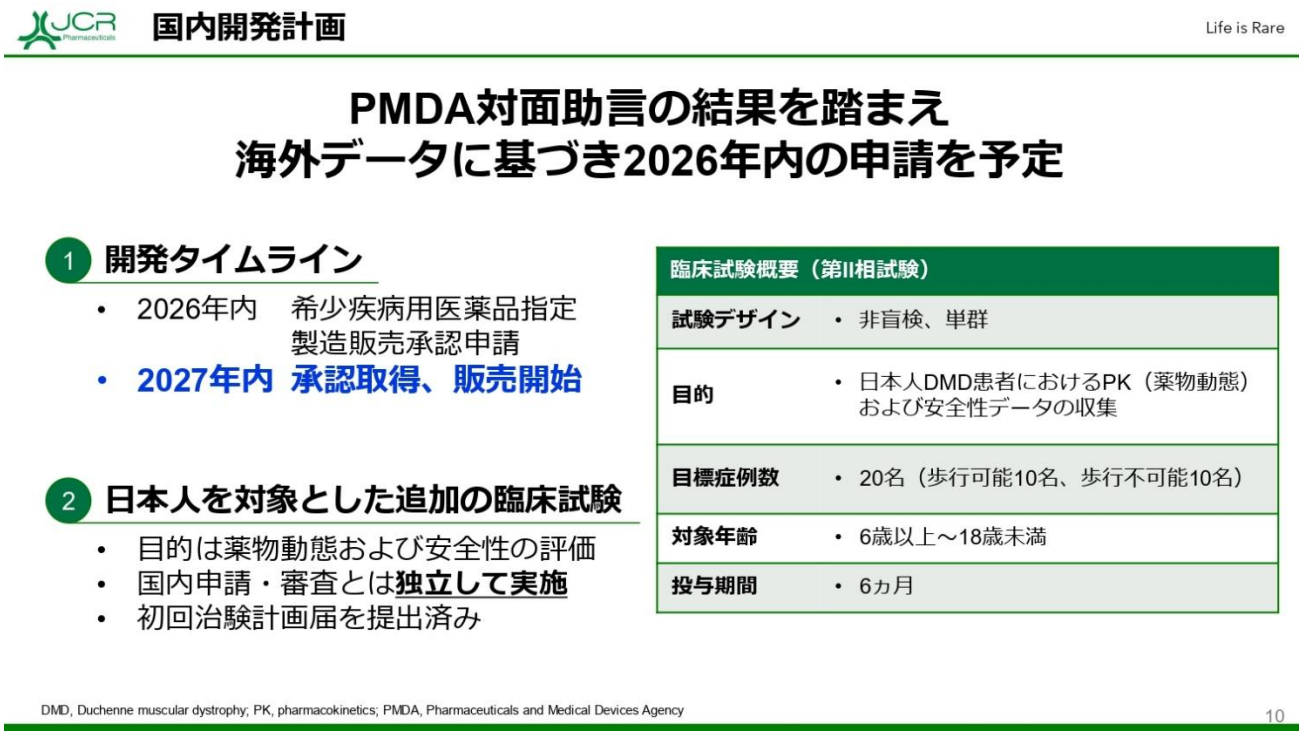
ここが一番のプライマリ、主要評価項目として設定されています。これは 4SC 試験と書いていますが、これは 4 段の階段を上る、その時間を測る試験になります。これも 72 週間投与後に測定をしていまして、Givinostat が緑、プラセボが灰色で示してあります。これは上る時間を測定しているので、早く上れたほうがいいわけです。つまり、バーが小さいほうがよく効いているということになります。

この場合は、上るスピードが速くなるわけではなくて、先ほどお話ししたように進行性の病気なので、どんどん悪くなるのをどれだけ止められるかという指標で見ています。つまり 72 週間後に投薬しなかったプラセボに比べて、投薬した Givinostat の緑色においては、ベースラインからの変化量が 1.78 秒短かったと。上るのにかかる時間がそこまで増加しなかったということになります。



次に、有害事象についてです。

この薬剤は低分子化合物ですし、もちろん有害事象は認められています。ここに記載のとおり、約20～30%の患者さんに消化管障害を含めた有害事象というのは認められましたが、その多くは管理可能で、投与の継続が可能だというレベルの有害事象が認められたという報告になっています。



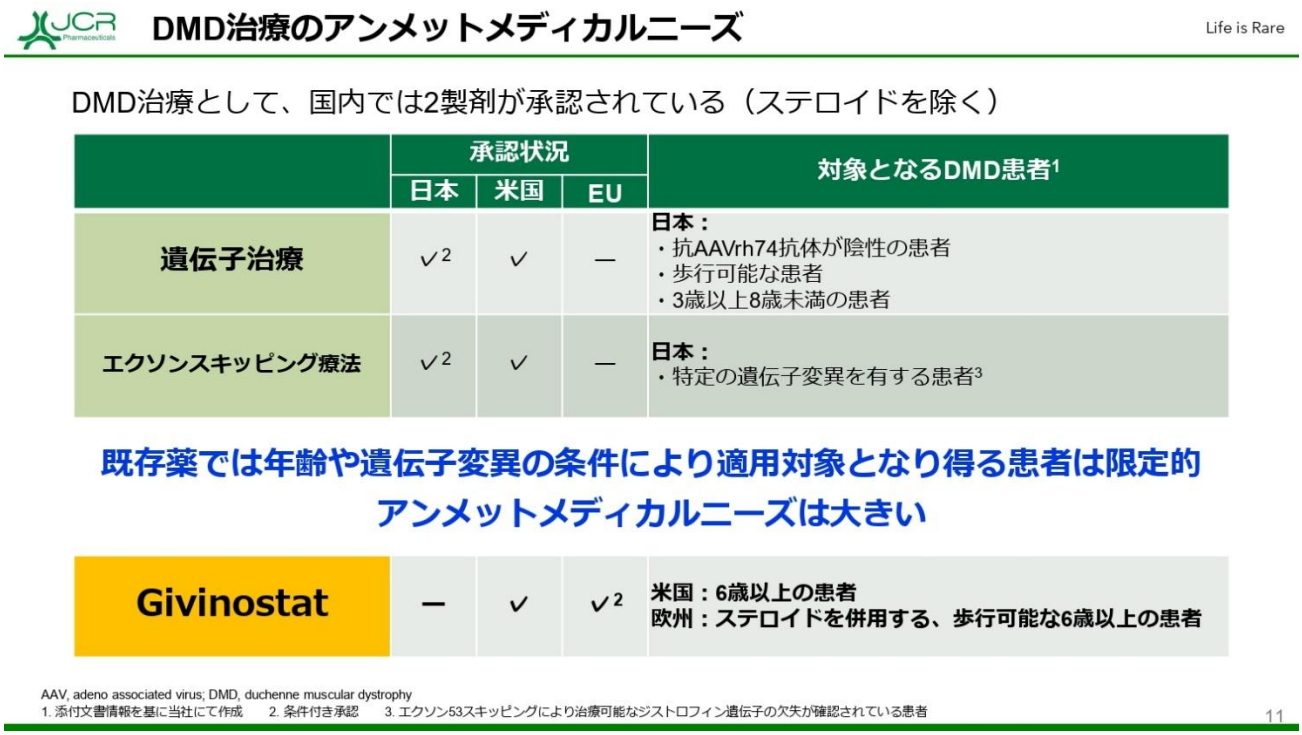
ここからが今日の本題になるかと思います。そのデータをもって、われわれは昨年の 12 月に、この剤を日本のマーケットで権利を導入しまして、開発計画を立ててきました。

PMDA と相談し、いろいろとやり取りをして、最終的に PMDA との対面助言の結果を踏まえて、海外データに基づいて、先ほどお話しした海外での臨床試験データに基づいて、今年、2026 年内の申請を予定しています。

左側の 1 番、開発タイムライン。ここにも同じことを書いています。2026 年内に申請をして、2027 年内に承認取得、販売開始を目指したいと思います。

さらにそれと並行して 2 番目、日本人を対象とした臨床試験も実施します。これは国内の、先ほどお話しした申請・審査とは独立して実施をします。つまり海外のデータで申請をしますが、日本人のデータは、日本の中で臨床試験を実施して、別途取っていくということになります。

右側は臨床試験の概要を示しています。右側の緑のテーブルです。試験デザインは非盲検の単群で、症例数は 20 名、歩行可能の患者さん 10 名、歩行ができない患者さん 10 名、トータル 20 名をリクルートして、6 カ月の投与期間での試験を計画しています。

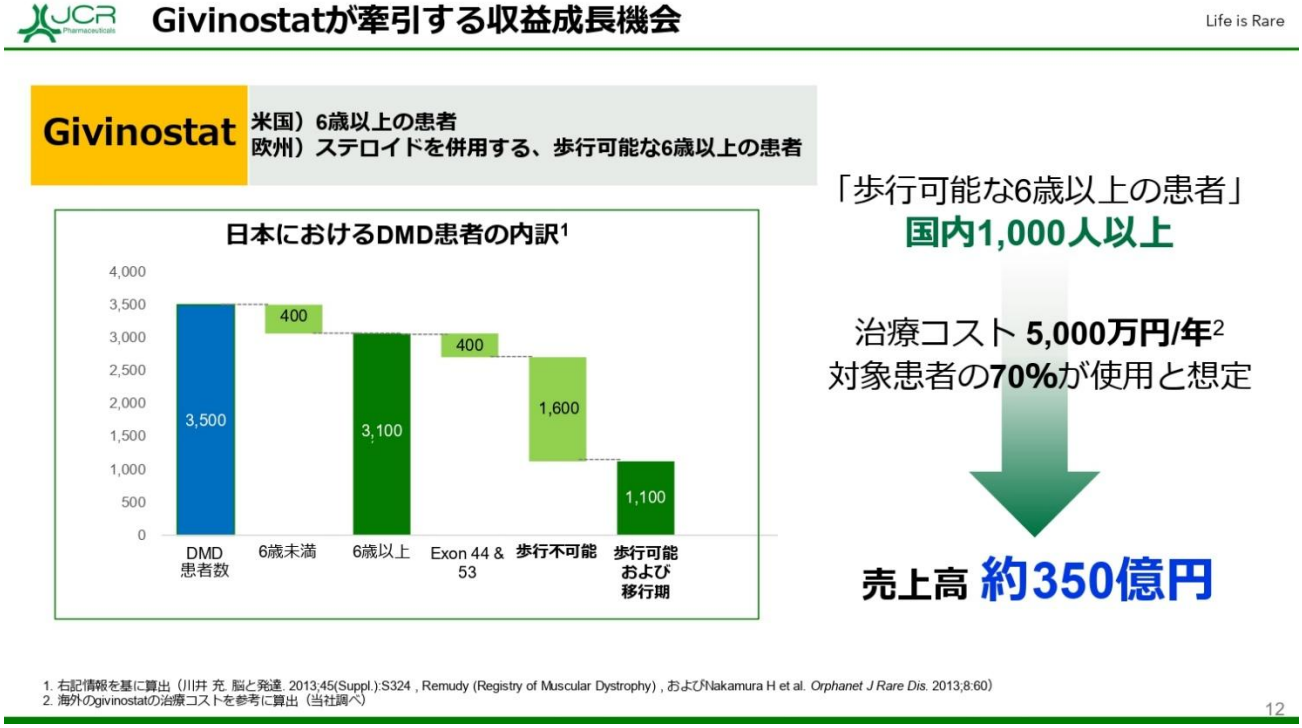


次に、この DMD 治療のアンメット・ニーズ、そしてそのアンメット・ニーズに対して Givinostat がどうなのかということをお話ししたいと思います。

現在では、ステロイド以外で日本国内では二つの製剤が承認されています。一つは遺伝子治療、一つはエクソンスキッピングになります。

ただ、これらの既存薬では、投与可能な年齢の幅が狭いという制限があったり、特定の遺伝子変異がないと効果が期待できないといったような、対象患者さんが制限される、非常に限定的になるというアンメット・メディカル・ニーズがあります。

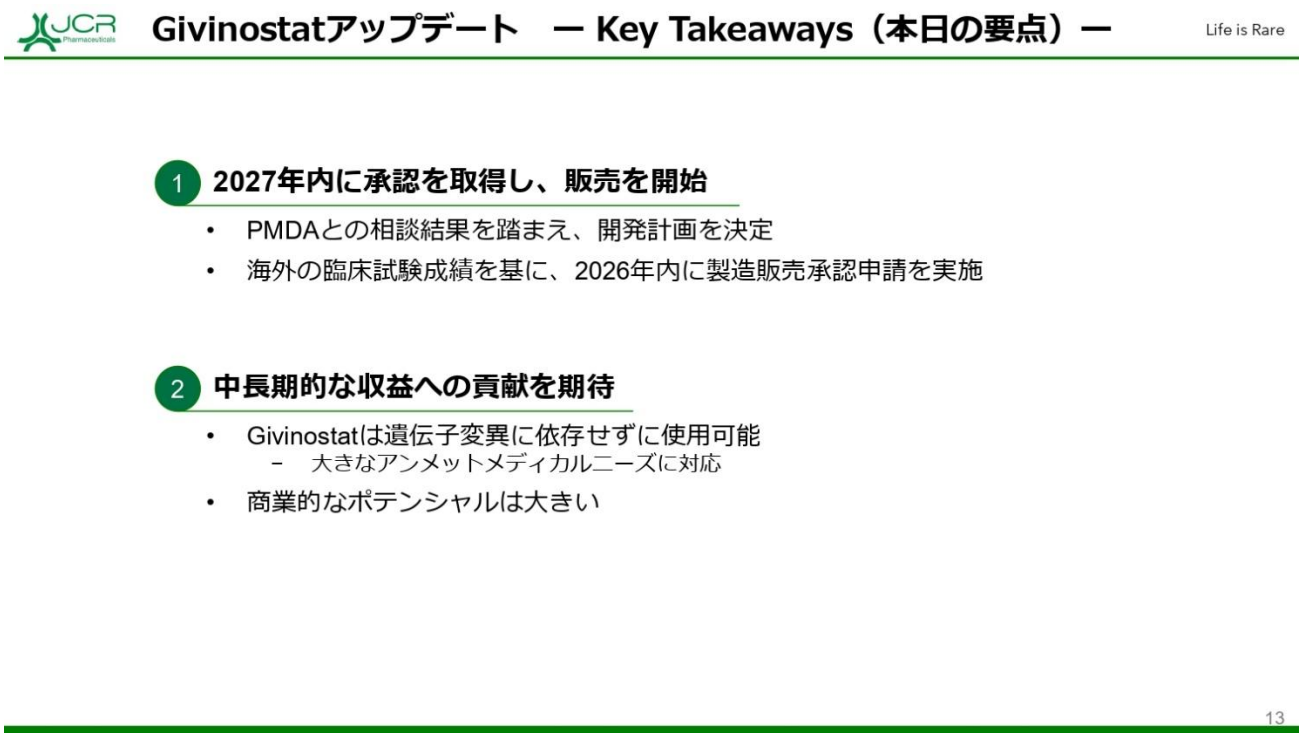
そこに対して、今回の Givinostat は、アメリカと欧州での承認の要件になりますが、6 歳以上の患者さんで、遺伝子変異に関係なく投与ができるということで、上に挙げた 2 剤よりも幅広い患者さん、これまで剤が承認されても治療が受けられなかった DMD の患者さんに、今回、Givinostat はお届けすることができると考えています。



次に、ビジネス面の話になります。

今お話ししたことを踏まえますと、Givinostat は 6 歳以上、かつ遺伝子変異に関係なく投与ができるという可能性を秘めています。日本における DMD 患者さんがそれに合致するのがどれぐらいおられるのかというのが、左側、緑の囲みの中に示しています。全体の DMD 患者さん、青いバーですが、その中で一番右の緑のバーですね、約 1,100 人の患者さんが歩行可能な患者さんだと見ています。

右側に行きますが、歩行可能な 6 歳以上の患者さん、これが先ほど 1,100 人と言いましたが、1,000 人以上国内におられるだろうと。その 70%の患者さんがこの剤を使用され、かつ治療コストが年間 5,000 万円だと仮定すれば、売上が約 350 億円になるという計算になります。これはわれわれの事業規模から考えると非常に大きなインパクトがある数字になります。



これが最後のスライドになります。今日のサマリーになります。

一つ目、2027 年内に承認を取得し、販売開始を目指します。これはお話ししたとおり、PMDA との相談結果を踏まえて、開発計画、申請時期を見直した結果、このように今考えております。

二つ目、それによって中長期的なわれわれの収益への大きな貢献が期待できると考えています。その理由も先ほど述べたとおりです。Givinostat は遺伝子変異に依存せず、投与できる患者さんが非常に幅広くおられるということ。そして、先ほどお話しした 350 億円という数字が、われわれの事業規模からすると非常に大きなインパクト、ポテンシャルがあるということになります。

私からの説明は以上になります。

質疑応答

司会 [M]：それでは、これより質疑応答に移ります。

最初にアナリストの皆様、その後にメディアの皆様からの質問をお受けいたします。ご質問の順番が来ましたら私から指名をさせていただきますので、ミュートを解除の上、会社名とお名前をおっしゃってからご質問をお願いいたします。

なお、ご質問は一問一答形式にて、お一人につき 1 回 2 問までとさせていただきますが、何回挙手をいただいても構いません。

それでは、質疑応答を始めます。初めに、村岡様、よろしくお願いします。

村岡 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレー、村岡です。

来年認可・発売ということで、来年の業績への影響がとても大きいと思うので、マテリアルなイシューのためぜひ教えていただきたいです。

認可発売時のマイルストーンの支払は、この間の導入時の 15 億円に比べてどういう規模感で見ておくべきなのか。そして P/L への影響の仕方、どういうふうに現時点で考えておくべきなのか。今までも何度か議論させていただいたと思うのですが、あらためてお願いいたします。

伊藤 [A]：では、伊藤よりお答えいたします。ご質問ありがとうございました。

金額については前にも申し上げたとおり非開示でございます。これはまた来年の予算の説明のときにも同じようなご説明になるかと思いますけれども。承認時のマイルストーンの支払があったとして、その支払につきましては資産化して償却できますので、ある年数にわたっての案分した費用計上ということになると思います。

村岡 [Q]：認可、発売それぞれ分けて考えておいたほうがいいですか。

伊藤 [A]：分けてというよりも、そのときに 1 回のマイルストーンだったように記憶はしております。

村岡 [Q]：分かりました。ありがとうございます。開示できる内容は数カ月前とあまり変わっていないということですね。

伊藤 [A]：その部分についてはそうですね。

村岡 [Q]：分かりました。ありがとうございます。では 2 問目の質問です。これも以前と比べて開示できる量が増えていればうれしいのですが、

アメリカでの発売後の使用状況について、もうちょっと色をつけて教えていただきたいと思います。例えば特にどういうプロファイルの患者さんに使われているのか、どういうところには使われていないのか、どのくらいの期間使われているのか、どういう薬剤との併用が実際には多いのか、みたいな、何でもいいんですけれどもお教えいただけると大変助かります。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

米国に関しまして、売上等の詳細な情報というのはわれわれも持ち合わせておりません。一方で、添付文書の内容が歩行可能、不能、どちらも含んでいる。またはステロイドの使用が制限になっていないというところが欧州との承認状況としては違う部分になっています。

そういった意味で、情報として出ているのは、non-ambulatory というか、歩行不能の患者さんにもこの剤が使われているというお話は聞いております。もう一つは、ステロイドを使っていない方も使用されているという状況は聞いています。

最後に一つ質問ありましたけれども、併用ですね、この観点についてもいろいろなパターンで併用されている方もいらっしゃると。そういったところが今われわれが得ている情報でございます。

承認が 2024 年だったと思いますので、今 2 年間たって、そういった形で使われているという状況です。

村岡 [Q]：ありがとうございます。その辺りもうちょっと、例えば若干数字を伴って何割ぐらいの患者さんがこうだとか、そういう色のある情報ってお話しできるものありますでしょうか。

谷澤 [A]：今の段階では具体的に何名というお話はできない状況になっております。

村岡 [M]：分かりました。以上です。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いて、橋口様、よろしくお願いします。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。よろしくお願いいたします。

最終的には審査の結果次第ということにはなると思うんですけれども。現時点の御社の感触として、適応症、それから承認の在り方というのがどのようになりそうとお考えかお聞かせいただければと思います。

今おっしゃったように、米国とヨーロッパではステロイドの併用の条件、それから歩行可能、不能のところが違う。それからヨーロッパでは条件付き承認、アメリカでは通常承認という形になっているんではないかと思うんですけれど。日本においてはこの辺りどういった扱いになりそうかという感触をコメントいただければと思います。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

一言でご回答申し上げますと、米国での承認の条件をわれわれとしては目指しているというのがお答えになります。その背景としましては、われわれは DMD あるいは筋ジストロフィーのコミュニティの方々とよくディスカッションをさせていただくんですけれども、先生方の、あるいは患者様方のニーズとしましては、歩行不能でも、車椅子を使っておられる方は、なるべくその機能を維持したいというニーズが非常に高いというところがあります。そういった観点から、われわれも当局含めてそういった話をしてまいりました。

もう一つ、ステロイドですけれども、こちらに関してもいろいろな先生方のご意見ございます。いろいろな治療選択肢ということをニーズとして考えるのであれば、そこの部分で制限がないほうが当然良いという話を聞いておりますので、そういったニーズを基に、今ディスカッションを重ねているところでございます。

橋口 [Q]：ありがとうございます。それにもかかわらず、12 ページの 350 億円というご説明で、1,100 人とか、1,000 人とか、そういった数字をもとにご説明されたのはどうしてなんでしょうか。

今のお話だと、2,700 人を分母にお話しいただいてもよかったんじゃないかと思うんですが、いかがでしょうか。

伊藤 [A]：橋口さん、ありがとうございます。伊藤でございます。

そこのところはおっしゃるとおりでございます。ただ、われわれとしては歩行可能な患者さんということで、この数字をお示ししているわけでございます。おっしゃるように適応が歩行不能な患者さんにまで拡大できれば、その可能性をわれわれは追求しているわけでございますが、その部分は大きなアップサイドということで捉えていただければありがたいと存じます。

橋口 [Q]：御社としては歩行不可能な方にも使っていただけるようにというのを目指してらっしゃるけれども、まだシナリオには少し幅がありそうだと理解したほうがよさそうでしょうか。

伊藤 [A]：そこの点についてはそのようにご理解いただいて結構かと思います。

橋口 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。その他ご質問いかがでしょうか。川村様、お願いいたします。

川村 [Q]：SBI 証券の川村です。ご説明ありがとうございます。

トップラインのご前提等は非常に理解したつもりですけれども、御社の利益貢献について教えてください。これは多分、低分子で、原価でいったらかなり低いと思うんですが、御社にとってどのぐらいの利益率で入ってくるとわれわれは見ておけばいいのか。まだ薬価も決まっていない段階で答えにくいとは思うんですけれども、指標となるものとかがあれば共有いただけないでしょうか。お願いいたします。

伊藤 [A]：ご質問ありがとうございます。伊藤でございます。

おっしゃるとおり、まだ薬価も決まっておりませんので、数字でお答えするのは非常に難しいんですけれども、われわれが従来申し上げているとおり、通常こういったものの導入契約について、コストの観点から言いますと、かなりいい契約を結べたとは考えております。そういう意味では売上のみならず、当然利益にもかなり貢献してもらえる薬剤だと考えています。

川村 [Q]：分かりました。ありがとうございます。ちょっと前の橋口さんの質問とかなりかぶるんですけれども。今回、PMDA との事前相談において、どういう要件、枠組みで申請してよいかなどをたぶん多少握っていると思うんですよね。

今回、米国での承認の条件を目指しているってところですけど、ある程度、これ前提で申請してもらって、その上で審査というところまで、事前相談で見えてきたというふうにわれわれは捉えておいてよろしいですか。そこまでは大きな変数として捉えたほうがいいですか。これが最後の質問です。

谷澤 [A]：ありがとうございます。谷澤でございます。

PMDA との協議の詳細に関しては、お答えはできない状況ではあります。ただ、先ほど申しましたように国内のニーズ、アンメット・ニーズが高いということに関しては、われわれは十分説明をできたと思っておりますので、これで回答とさせていただければと思います。

川村 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。失礼します。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは次に、山木田様、お願いいたします。

山木田 [Q]：ジェフリーズ証券の山木田でございます。ご説明ありがとうございました。

私から 1 点目です。追加の臨床試験をやらなければいけないというところで、まだ安全性について、PMDA も心配をしているのかなという印象を受けました。承認された後に副作用モニタリングの要件が厳しくなって、例えば一次報告が必要とか、そういったことになる可能性はあるんでしょうか。要は処方であったり、その後の手続きが煩雑になって、お医者さんが使うのをためらわないか、ということを確認したいです。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

最初に追加の臨床試験が必要というご質問があったかと思いますけれども、通常海外で承認を取っていて、日本で申請をするというときには、日本人データの取得というのが非常に重要であるということは前々から言われていることでございます。われわれとしてもそこは同意をしており、やはり民族間差や、色々な要件がありますので、日本人の患者さんでの使用経験は、非常に多くの情報をもたらしてくれると思っています。

そういった観点があるので、われわれとしましても臨床試験を実施するのは非常にリーズナブルな話であると思っております。何か大きな懸念があって実施してくださいという意味ではなくて、通常のプロセスとして臨床試験が必要であるという認識で捉えていただければと思います。

もう一つは承認後のモニタリングの複雑性というご質問かと思います。こちらに関しましては、既に欧米で承認をされているというのは、われわれとしても非常に心強い情報になっています。実臨床の中で患者さんが使われている中で、安全性のモニタリング、あるいは用量のモニタリング、副作用のモニタリング方法というのが概ね固まってきておりますので、そういったノウハウを最大限われわれとしても参考にして、市販後でモニタリングをしていこうと考えています。

山木田 [Q]：理解できました。ありがとうございます。すいません、もう 1 点だけ。脂肪割合の低下というところ、これが一番の効果かなと思うんですけれども。この効果というのはエクソンスキッピングだったり、遺伝子治療では確認されていない効果になるんですかね。すいません、そちらの論文もしっかり読めばいいのかもしれないですけど、教えてください。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤です。

私も他社のデータを全部網羅して見ているわけではございませんので、その点ご容赦いただきたいんですが。このデータに関しては、Givinostat のデータとしては非常に重要な、PD（薬力学的効果）という位置付けになっています。Mode of action を裏付ける臨床的効果で、しかも定量化で

きて差が見れるものということで、ここが非常に重要なポイントにはなっています。他社については、申し訳ないですけれども、見たという認識は今のところ私の中ではございません。

これを受けて、実際の機能、4 段階段の上る時間というのが変わったということがありますので、こういった Mode of action から PD があって、それから臨床症状につながったということをご説明するために、これは非常にいいデータだということでご紹介を申し上げました。

山木田 [Q]：分かりました。ありがとうございます。確かにクリニカルなエンドポイントで、しっかりデータが出ているのでいいのかなとは思うんですけれども、国内のお医者さんがこの脂肪割合の低下というのをどれぐらい重要視されているのか、そういう意味ではいかがでしょうか。フィードバックは何か聞いていますか、国内から。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。先生方が非常に重視されるのは、やはり臨床症状としてどういったところに効果があったのかという点だと思います。これは他社の製剤でも同じだと思うんですけれども、やはり機能が改善するというところを一番重視されているような印象を持っております。

そこの部分は、例えば 4 段階段の時間がプラセボ対照と比較して有意に差があったというところであったり、付録のほうにも付いておりますけれども、歩行の維持がナチュラルヒストリーと比較して 2.9 年とか 3 年ぐらい伸びました、こういったデータがやはり先生方にとっては明確なベネフィットとして受け入れられやすいかなと思います。

もう一つは、それを支える Mode of action が何で、非臨床試験でどういったことが認められていて、臨床試験の中でどういうサポーティブデータがあるか。そこで支えられるのは非常に重要です。本剤に関しましては、Mode of action からその途中の部分もしっかりと説明ができていて、その一つが脂肪化の抑制と思います。

山木田 [M]：よく分かりました。ありがとうございます。私からは以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いて、水野様、よろしくお願いいたします。

水野 [Q]：東京海上アセットマネジメントの水野です。ありがとうございます。

非常にいい展開だと思うんですけれども。決算説明会のときの御社のお話ですと、この薬剤に限らず今後もこのような形でのレアディジーズの薬の導入を考えていらっしゃる話だと理解しております。まだ閣議決定前ですけれども、骨太の方針の成長戦略にもこのような薬剤の国内への導入というのは重要な戦略の一つだと思うんです。

なので、御社においてこのようなことをさらに他の化合物でも今後考えておられるのかということの確認と、そうである場合の再現性を考えた場合の一つのヒントとして、この Italfarmaco さんとの出会いですね、どういう経緯でこういう契約に至ったのかというところについて、解説をお願いできればと思います。

薗田 [A]：ご質問ありがとうございます。薗田です。

まず最初の質問で、他にも同じように導入品を考えているのかということですが、これまでもお話ししてきたとおり、われわれの規模とわれわれの専門性に合致しているものであればという条件付きですけれども、考えております。

ただ、今回のように、既に欧米で薬効が証明されていて、日本だけスポットが空いている。しかもそれがわれわれのフィールドに合致しているというものはそうたくさんあるわけではありません。次もう見えていますよということではなくて、われわれのスタンスとして、そういったわれわれの目的、われわれの今やろうとしていることに合致しているものがあれば導入しますという意味合いで捉えていただければと思います。いろいろと探しまくっているフェーズではないことは申し上げたいと思います。

どうやってこの剤を見つけてきたのかというのが 2 番目の質問かと思います。これに関しては、われわれは自分たちの技術をいろんな会社に提供する、もしくはアセットを提供する、今回のような導入ではなくて導出の機会を探るために、国内外の色々な製薬企業さんと話をしており、継続的に色々な会社さんとコミュニケーションを取ってきておりました。

その中で、Italfarmaco さんともいろんなお話をしていく中で、彼らが日本以外の地域で DMD に関してこの剤を開発しているということを知って、それで両社の関係の上で、この剤の日本の開発において JCR ができる可能性があるかという話に発展したということになります。

水野[M]：ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。その他ご質問はいかがでしょうか。それでは、アナリストの方以外に、メディアの皆様も含めてご質問をお受けしたいと思いますが、いかがでしょうか。村岡様、よろしくお願いいたします。

村岡 [Q]：すいません。ありがとうございます。2 回目です。7 ページの脂肪割合のデータです。

データそのものじゃなくて、N 数がコントロール 37 で、Givinostat は 77 で、合わせると 110 人。試験自身は、前のページ見ると 179 人です。結構この解析に至った患者数が少ないなと。コントロールも少ないなと思うんですけれども、割合はほぼ 1 対 2 のままなんで。

これはなんでこんなに解析に至れなかった患者さんが出てきたのか、何かそういう背景は分かりますでしょうか。Givinostat のセーフティかなと最初思ったんですが、そういうわけでもなさそうだな、コントロールも脱落していると思うんですが。その辺り解説いただけると助かります。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

この資料の背景、どういった患者さんが選択されたのかというところについては、今、現時点でお答えはできないので申し訳ございません。また確認しておきます。

村岡 [Q]：特に御社もこのデータを見るときに、私のような感想はあまり持たなかったということですかね。

谷澤 [A]：解析の中で MRI の測定がありますので、そういったところで測定ができなかったとか、いろんな可能性は考えられるかなとは思います。データが全部そろっていないとかですね。そういった可能性というのもあるかなというところで確認をしたいと思います。

村岡 [Q]：いずれにせよ Givinostat だけ特に長く投与されていないということはなさそうに見えるんですけど、そういう理解でいいですよね。

谷澤 [A]：そうですね。臨床試験の内容についてはもう論文化されておりまして、どういった患者さんが何名入られて、完遂した方が何名というところは確認ができますので。大幅に脱落とか、安全性上の問題があるというところはなかったと記憶しております。

村岡 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いて、石井様、よろしくお願いします。

石井 [Q]：医薬通信社の石井です。この薬剤は、進行する疾患をどれだけ止めるかということなので、早く疾患を見つけるような検査方法とか、そういうのはあるんでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

海外では新生児スクリーニングというところで、この疾患を見つけようという試みはされておりますけれども、現時点で日本でそういった、生まれてすぐに診断しようというようなスキームというのは存在しておりません。そこは一つの課題と認識されているかと思います。

一方で、1 歳半健診でありますとか 3 歳児健診という、広く適用される検査がありますので、そういったタイミングで DMD あるいは筋ジストロフィーが診断されるケースというのは多くありまして、海外に比べますと日本での診断というのは比較的早いと言われております。

石井 [Q]：分かりました。それから日本での臨床試験の件です。これは人種差が出てくるという可能性は少ないでしょうか。

谷澤 [A]：これに関しましては、結果を本当に見てみないと分からないというのがお答えにはなるんですけれども。疾患によっては、日本人と海外の患者さんでかなりバックグラウンドが違うというものもありますが、今までわれわれが見ている限りではありますけれども、このデュシェンヌ型の筋ジストロフィーに関しましては、海外、日本とも大きな差はない。進行に関しても同様の経過をたどると見ておりますので、そういった可能性については低いのではないかなと考えています。

石井 [M]：ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いて、山地様、よろしくお願いします。

山地 [Q]：ありがとうございます。日経バイオテクの山地でございます。

まず、日本で実施されるご予定の臨床試験についてお伺いしたいです。Italfarmaco 社が実施された第Ⅲ相では前例がコルチコステロイド併用下で実施されていますけれども。日本で実施される臨床試験でもステロイド併用下で試験を実施されますでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

試験デザインの組入基準であるとか要件というのは、今、治験届をちょうど提出をしたところでございまして、それが受け入れられて、正式に情報公開のサイトで開示してからご説明を申し上げたいと思います。

山地 [Q]：分かりました。ありがとうございます。あともう 1 点、Italfarmaco 社の第Ⅲ相のデータを見せていただきましたが。Givinostat の価値を支持するデータとして、筋肉への脂肪浸潤抑制を示されていましたけれども、MRI 上での脂肪割合の低下と、長期的な運動機能維持との関連性というのはどれくらいまで証明されているものなんでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

直接的な相関というよりは、やはり DMD の進行というのは当然筋肉が萎縮して線維化が起こって、脂肪浸潤が起きてというようなメカニズムになっておりますので、それに伴ってできることができなくなっていくということは一般的なお話として知られているかと思います。

そこの部分が、われわれの Givinostat のデータでは、階段を上るとか、NSAA（ノース・スター歩行評価）も実施しているんですけども、そちらでもみなしの有意というような結果が出ておりまして、機能的に改善をしたと。その結果、その内容を MRI で精査してみると、筋肉量の維持が確認

されたということになりますので。そういったところで相関というのを説明できたらと思っています。

山地 [M]：分かりました。ありがとうございます。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続いて、岡田様、お願いいたします。

岡田 [Q]：薬事日報社の岡田です。

1 点目が既存薬との差別化といいますか、ポイントについて。今回、年齢であったり、遺伝子変異に依存しなくて対象が広いというのがポイントの一つ強みかなと思うんですけれども。もし患者さんが両方、既存薬と Givinostat を選べる場合に、こっちのほうが強み、患者さんにとっていい点であったりとか、この辺りのポイント、あるいは併用もできるのか、その辺りお伺いできますでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

併用の点は非常に重要な問題でありまして。まず優位性というところ。遺伝子治療というのは当然ですけれども注射剤で、エクソンスキッピングも注射でというところで、Givinostat は経口で投与ができると。その点に関しては投与方法という点で患者さん方が選ばれるポイントの一つになるかなと思っております。

もう一つは、おっしゃっていただいたとおり適応がそもそも違うというか。6 歳以上の患者さんに広く使えるというところで判断をされるかなと思います。あと、歩行可能、不能というのも剤によって違いますので、そういったところを考えるというところです。

併用に関してですけれども、これもやはり販売後の学会等の見解とか、そういったところも非常に重要になってくるところで。われわれとしての予測はなかなか申し上げられないところがございます。

1 点事実として、先ほども申し上げましたけれども、米国では 3 剤とも承認がされております。その中で併用をされている患者さんもいらっしゃるというのは把握をしているところです。今後、そういった併用に関しては、例えば SMA などでは小児神経学会から併用に関するガイドラインが出ておりますので、そういった形で専門の先生方の中で議論されるということは考えられるかなと思います。

岡田 [Q]：両方選べる場合の、注射なのか、経口なのかというのは違うと思いますが、効き目といいますか、その辺りというのはどうでしょうか。

谷澤 [A]：この点に関しても、先生方が公表されている各製剤の有効性、安全性のデータを横並びにして説明をするということになると思います。他社のデータに関してわれわれ言及はいたしませんけれども、Givinostat に関しましては、先ほど申し上げましたように、プラセボ対照にてプライマリーエンドポイント（主要評価項目）で有意な差が認められているというところは非常に大きな説明のポイントになろうかと思います。

これを支える副次的なデータも先生方が説明する際には重要になると思いますし、また患者さんたちがどういった効果が期待できるのかというのを判断する上でも重要だと思っています。

岡田 [Q]：分かりました。ありがとうございます。あともう 1 点、海外での Givinostat のシェア。売り上げがちょっとできないというのがありましたが、シェアというのはいかがですか。

谷澤 [A]：先ほど、患者数等は数字的なところは難しいというような回答をさせていただきました。シェアも同じような観点でご理解いただければと思います。

岡田 [M]：分かりました。ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続きまして、印南様、お願いいたします。

印南 [Q]：東洋経済の印南です。本日ありがとうございました。2 点質問がございます。

1 点目です。今回、当初は 28 年中の承認を得るとおっしゃっていたのが早くなったということですけれども、その背景として、何か PMDA との議論の中で御社が当初想定していたよりも早まった理由というのは何かあるんでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

これは PMDA に限らずだと思うんですけれども、やはり今、日本が直面しているドラッグラグ、ロスの課題というのがありまして。それを国全体としても解消していこうという試みがあると理解をしております。

われわれは患者さんのニーズをもとにそういったことを把握しましたので、それを 1 日でも早く承認されるように努力して、その内容をロジックに乗せて相談をさせてもらったというところがあります。

なので、大きく変わったものではないとは思うんですけれども、ここは関わっている皆様、ステークホルダーの方々が早く承認を取っていこうというドラッグラグ、ロスを解消しようという機運が感じられたというのが今回のケースでございます。

印南 [Q]：ありがとうございます。2 点目です。先ほどの市場性に関してとも関連するんですけれども。理論的にこのお薬というのは、生涯、症状が、かなり年齢が長じるまで飲み続けていくようなお薬なのか、それともあるどこかの時点で効かなくなってくるようなお薬なのか。どういうようなものなのか、詳細は難しくてもイメージを教えていただけるとありがたいなと思うんですが、いかがでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤でございます。

例えば臨床試験に入られた方というのは非常に長期に今も使用を続けられております。この疾患というのは進行性ですので、なるべくその進行を抑えていくという目的からは、長く処方をされるというのが想定になっております。

印南 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

司会 [M]：ありがとうございました。それでは続きまして、早瀬様、お願いいたします。

早瀬 [Q]：ミクスの早瀬と申します。ありがとうございます。

薗田社長にお伺いしたいです。2030 年代に売上高 1,000 億円という目標を掲げていると思うんですが、この Givinostat はどの程度の貢献、ポテンシャルを見込んでいらっしゃるでしょうか。また、売上以外の期待についてもあらためて教えていただければと思います。

薗田 [A]：ご質問ありがとうございます。きょうの後半のスライドで数字は 350 億円ということを示しました。ここに到達、さらに患者さんの対象がもう少し上振れをすることで、この数字以上がもし見込める場合、この 1,000 億円という数字とこの数字を見比べていただけると、この Givinostat が 1,000 億円に大きく寄与するということはもう明白かと思っています。

この Givinostat がない状態のときにも、われわれは 1,000 億円を目指しますということは言っておりました。それはわれわれが今持っているアセット、それのグローバル化、技術導出、そういったもので十分目指せると考えておりましたが、この Givinostat が加わったことでその確度がより高まり、時期が早まるのではないかと考えています。

次、二つ目の質問は、これ以外のいいところというか、Italfarmaco 社との提携によって何かポジティブなことが他にあるかというご質問かと認識をしました。その意味では、この Givinostat の契約のときに両社で希少疾患領域で包括的に色々な検討をしていきましょうというようなこともやっております。

ですので、彼らが希少疾患領域、ここに書いてありますのは DMD であったり、ALS であったり、そういったものを彼らが手がけているということをここで書いておりますが、われわれも希少疾患をメインにしております。

われわれはどちらかというと研究型、研究が得意なタイプの企業で、彼らはどちらかというと販売が得意なタイプになります。ですので、われわれが足りないもの、彼らが足りないもの、ここがうまく合致するようなコラボレーションが組めるのではないかと今考えていますので、その両者の強みを最大限発揮できるようなコラボレーションを今後していきたいと思っています。以上になります。

早瀬 [Q]：ありがとうございます。すいません、もう 1 点。日本人の臨床試験も計画されていますけれども、このスケジュールについて教えていただける範囲で教えていただけますでしょうか。

谷澤 [A]：ご質問ありがとうございます。谷澤です。

スライドの中にもありますけれども、初回の治験計画届を提出済みとありますので、これが受理されまして、そこから契約が可能ということになってまいります。その辺りも含めて情報公開のサイトに提示ができるかなと思っています。

早瀬 [M]：ありがとうございました。

司会 [M]：ありがとうございました。その他ご質問いかがでしょうか。もし他にご質問がないようであれば質疑応答を終了とさせていただきますが、いかがでしょうか。それでは、ご質問がないようですので、これにて質疑応答を終了とさせていただきます。

では、以上をもちまして、ＪＣＲファーマ株式会社、Givinostat アップデート説明会を終了させていただきます。本日は誠にありがとうございました。

［了］

脚注

1. 音声が不明瞭な箇所に付いては[音声不明瞭]と記載

2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す

免責事項

本資料で提供されるコンテンツの信憑性、正確性、完全性、最新性、網羅性、適時性等について、株式会社 JPX 総研（以下、「当社」という）は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。

本資料または当社及びデータソース先の商標、商号は、当社との個別の書面契約なしでは、いかなる投資商品（価格、リターン、パフォーマンスが、本サービスに基づいている、または連動している投資商品、例えば金融派生商品、仕組商品、投資信託、投資資産等）の情報配信・取引・販売促進・広告宣伝に関連して使用をしてはなりません。

本資料を通じて利用者に提供された情報は、投資に関するアドバイスまたは証券売買の勧誘を目的としておりません。本資料を利用した利用者による一切の行為は、すべて利用者の責任で行っていただきます。かかる利用及び行為の結果についても、利用者が責任を負うものとします。

本資料に関連して利用者が被った損害、損失、費用、並びに、本資料の提供の中断、停止、利用不能、変更及び当社による利用者の情報の削除、利用者の登録の取消し等に関連して利用者が被った損害、損失、費用につき、当社及びデータソース先は賠償又は補償する責任を一切負わないものとします。なお、本項における「損害、損失、費用」には、直接的損害及び通常損害のみならず、逸失利益、事業機会の喪失、データの喪失、事業の中断、その他間接的、特別的、派生的若しくは付随的損害の全てを意味します。

本資料に含まれる全ての著作権等の知的財産権は、特に明示された場合を除いて、当社に帰属します。また、本資料において特に明示された場合を除いて、事前の同意なく、これら著作物等の全部又は一部について、複製、送信、表示、実施、配布（有料・無料を問いません）、ライセンスの付与、変更、事後の使用を目的としての保存、その他の使用をすることはできません。

本資料のコンテンツは、当社によって編集されている可能性があります。