

2026 年 9 月 12 日開催 (4552) JCR ファーマ

お時間の都合でご紹介できなかったご質問

ライゾーム病が治った子供がいましたが、薬は認可が無くても使えるのですか？

- 原則として、薬は国に承認されて初めて使用することができます。認可を受ける前に使用できる例のひとつは「治験」です。治験とは、薬が承認を取得するために必要な臨床データ(ヒトでの使用結果)をとるための臨床試験のことです。発表中に示した兄弟例の弟については、この治験に参加していたので、国から認可を受ける前にイズカーゴが投与されていました。

希少疾病は患者数が少ないと思いますが、どのようにして事業として成長させていくのでしょうか。

- 当社は 1000 名弱と規模の小さい製薬企業ですので、いわゆる「ブロックバスター」と呼ばれるようなとても大きな売上の医薬品ではなくとも、十分な利益を出すことが可能と考えます。市場規模が大きくないことは、逆に後発品や競合品の参入障壁にもなりえます。また、治療薬がない疾患の薬を開発するということは、市場シェアの意味では極めて有利に働きます。

JR-141 と JR-171 の導出交渉の状況について教えてください。

- 期初に予定していた通り、パートナー候補との間で順調に交渉が進んでいます。

JR-141 の Phase3 試験の結果開示と申請予定時期について教えてください。

- 申し訳ありませんが、開発戦略上、競争上の観点から、詳細なスケジュールは非開示とさせていただきます。
- 規制当局との相談を重ねながら、2027 年度中の承認取得に向けて進めています。

新薬開発は成功するまで時間もお金もかかると思いますが、開発がうまくいかなかった場合のリスクはどのように抑えているのでしょうか。

- 安定収益の増加が必要と考え収益の多角化を検討しており、その対策のひとつとして、既存製剤の価値最大化を狙い「日本で承認を得ていれば追加の臨床試験なく承認申請が可能な国」での海外展開を進めています。この計画は、アガルシダーゼベータやイズカーゴにおいて具体的に進んでおり、どちらも中東エリアでパートナーと契約しました。イズカーゴにおいては、今年 7 月にアラブ首長国連邦にて承認を取得することができました。今後も、徐々に販売できる国を増やしていきたいと考えています。

イズカーゴ®は現在、日本以外ではどの程度使われているのでしょうか。また、海外で承認されると会社の業績はどのくらい変わる可能性がありますか。

- 臨床試験での使用、という意味であれば、現在進行中のグローバル phase3 試験には約 60 名の方に投与されています。また、ブラジルで実施した phase2 試験では 18 名の方にイズカーゴが投与されました。
- 詳細は非開示とさせていただきますが、臨床試験とはまったく別で、NPS(named patient supply)という制度によりイズカーゴが海外で投与されています。これは、未承認の国であっても医師の要望に応じて処方することが可能になる制度で、この制度を利用してヨーロッパを中心にいくつかの国でイズカーゴが投与されています。具体的な人数は非開示ですが、この制度による投与の数は年々増えています。
- 海外での売上の参考情報として、イズカーゴと同じ疾患(ムコ多糖症 II 型)を適応としてすでに他社から販売されている薬(先行医薬品)は、世界でおおよそ 1,000 億円の売上を計上していることが報告されています。

JR-446、JR-471、JR-479 をメディパル HD へ導出し、JR-141 や JR-171 も導出交渉を進めていますが、自社開発と導出を判断する基準は何でしょうか。患者数、市場規模、開発費、海外販売体制などのうち、特に重視する要素を教えてください。

- まず、海外販売体制を自社で整えることは現実的ではないと考えており、ここはパートナーを頼る部分です。言い換えると、海外展開する品目については、開発までは自社で対応できる場合もありますが、少なくとも販売段階においてはパートナーを必要とするため、導出します。なお、同じ製品であっても、海外は導出し、国内は自社で販売するという場合はあり得ます。
- 患者数と市場規模については相関しやすいと思います。開発費に関しては、臨床試験全体としてどのように計画するのか、どの国で実施をするかによっても大きく影響を受けますが、基本的には、患者数の多い疾患を対象とした場合はより大規模な臨床試験を行う必要がある場合が多いと考えます。臨床試験の規模が大きいということはそれだけ開発コストが大きくなりますし、開発のマネジメントや販売活動についても少数での対応が困難になります。
- 患者数、市場規模、開発費はどれもある程度相関のある重要な要素であり、重視する要素を 1 つだけ選ぶことは難しいですが、患者数の多い疾患については、基本的に自社開発の対象とはしづらいと考えます。

日本での givinostat 適用範囲は歩行不可能な患者さんも含まれるのでしょうか？

- 弊社としては、歩行不可能な患者さんも含めて使用できるような適応となることを期待しています。つまり、米国と同じく「6 歳以上の DMD 患者」という適応を目指しています。(EU では、6 歳以上の歩行可能な患者さんが適応となっています)
- ただし、実際に日本でどのような適応となるかは、承認を取得するまでわかりません。

開発中の中で上市できると売上高の大きいものはどれですか。

- 推定患者数が世界で 2,000-3,000 人と比較的多く、最終段階の臨床試験を 12 カ国で実施しており日本では既に承認取得済みである、JR-141 です。開発品目の中では大きいと想定されます。JR-141 はムコ多糖症 II 型の治療薬です。同じ疾患を適応としてすでに他社から販売されている薬(先行医薬品)は、世界でおおよそ 1,000 億円の売上を計上していることが報告されています。