

2023年度 第1四半期 決算説明会

2023年8月10日
日本新薬株式会社

2023年度 第1四半期概要



◆ 売上収益	:	37,012 百万円	(対前年同期比 + 3.9%)
◆ 営業利益	:	11,163 百万円	(対前年同期比 + 8.6%)
◆ 税引前四半期利益	:	11,440 百万円	(対前年同期比 + 8.8%)
◆ 親会社の所有者に帰属する 四半期利益	:	8,749 百万円	(対前年同期比 + 6.1%)

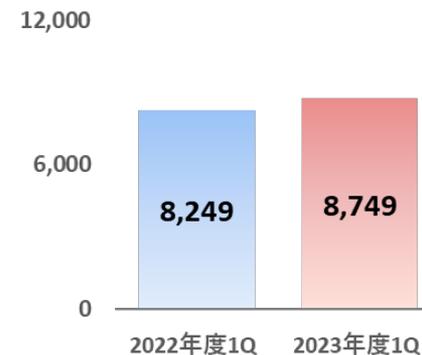
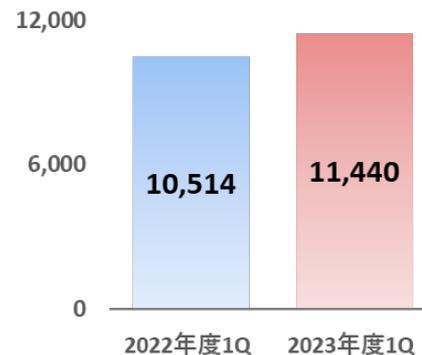
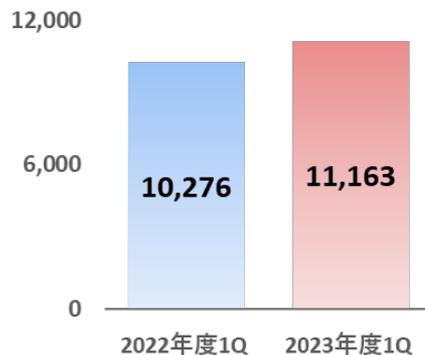
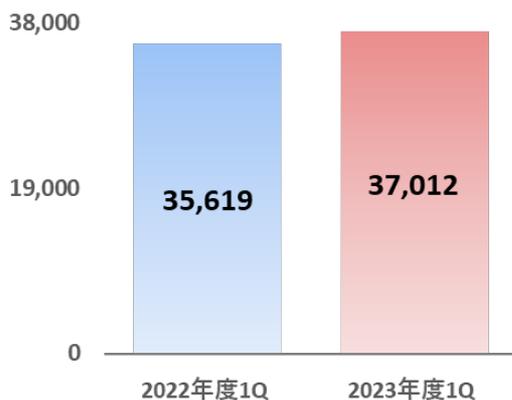
売上収益

営業利益

税引前四半期利益

親会社の所有者に帰属する
四半期利益

(百万円)



医薬品売上収益の内訳



(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
医薬品	20,900	68.7%	19,454	63.0%	△ 1,445	△ 6.9%
工業所有権等収益	6,903	22.7%	9,104	29.5%	+2,201	+31.9%
共同販促収入	2,603	8.6%	2,310	7.5%	△ 292	△ 11.2%
医薬品合計	30,407	100.0%	30,870	100.0%	+462	+1.5%

薬価改定の影響や後発品の影響があったものの、「ビルテプソ」、「ウプトラビ」等の医薬品売上の伸長、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、医薬品売上収益は1.5%の増収となりました。

機能食品売上収益の内訳



(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
プロテイン製剤	3,605	69.2%	4,284	69.8%	+679	+18.9%
品質安定保存剤	726	13.9%	736	12.0%	+10	+1.4%
サプリメント	335	6.4%	464	7.6%	+129	+38.7%
健康食品素材	214	4.1%	306	5.0%	+91	+42.7%
その他	330	6.4%	350	5.6%	+20	+6.2%
機能食品合計	5,211	100.0%	6,142	100.0%	+931	+17.9%

プロテイン製剤、サプリメント等の売上が増加し、機能食品売上収益は17.9%の増収となりました。

営業利益



(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	35,619	100.0%	37,012	100.0%	+1,393	+3.9%
（医薬品）	(30,407)	(85.4%)	(30,870)	(83.4%)	(+462)	(+1.5%)
（機能食品）	(5,211)	(14.6%)	(6,142)	(16.6%)	(+931)	(+17.9%)
売上原価	13,928	39.1%	12,962	35.0%	△ 965	△ 6.9%
販売費及び一般管理費	8,200	23.0%	8,418	22.7%	+217	+2.7%
研究開発費	4,738	13.3%	5,911	16.0%	+1,173	+24.8%
その他の収益	1,652	4.6%	1,572	4.2%	△ 80	△ 4.8%
その他の費用	128	0.3%	129	0.3%	+1	+1.0%
営業利益	10,276	28.9%	11,163	30.2%	+887	+8.6%

親会社の所有者に帰属する四半期利益



(百万円)	2022年度1Q 実績	2023年度1Q 実績	差異	増減率
営業利益	10,276	11,163	+887	+8.6%
金融収益	266	298	+31	+12.0%
金融費用	28	21	△ 6	△ 23.1%
税引前四半期利益	10,514	11,440	+925	+8.8%
法人所得税費用等	2,265	2,690	+425	+18.8%
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	8,249	8,749	+500	+6.1%

2023年度 連結業績予想



(百万円)	2022年度		2023年度			
	1 Q 実績	年度 実績	1 Q 実績	対上期 進捗率	上期 予想	年度 予想
売上収益	35,619	144,175	37,012	51.8%	71,500	145,000
（医薬品）	(30,407)	(121,988)	(30,870)	(51.0%)	(60,500)	(123,500)
（機能食品）	(5,211)	(22,187)	(6,142)	(55.8%)	(11,000)	(21,500)
営業利益	10,276	30,049	11,163	69.8%	16,000	32,000
税引前利益	10,514	30,489	11,440	70.6%	16,200	32,500
親会社の所有者に帰属する 当期利益	8,249	22,812	8,749	70.6%	12,400	25,000

売上収益、各利益ともに上期予想、
年度予想に対して順調に進捗しています。

研究開発の進捗状況

研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ヒトラルゼン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー						PIII 実施中		
NS-87 (daunorubicin / cytarabine) (導入)	新配合	高リスク急性骨髄性白血病								
ZX008 (フェンフルタミン塩酸塩) (販売提携)	新効能	レノックス・ガスター症候群								
		CDKL5欠損症								
GA101 (オビヌズマブ) (導入)	新効能	ループス腎炎								
		小児特発性ネフローゼ症候群								
NS-304 (レキシパゲ) (自社)	新効能	閉塞性動脈硬化症								
	新用量	小児肺動脈性肺高血圧症								

■ : 2022年度決算時からの変更箇所

研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-580 (自社)	新成分	子宮内膜症	■	■	■	■	■			
		慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	■	■	■	■	■			
NS-089/NCNP-02 (brogidirsen) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	■	■	■	■				
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	■	■	■	■				
NS-401 (tagraxofusp) (導入)	新成分	芽球形形質細胞様樹状細胞腫瘍	■	■	■					
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	■	■						
NS-917 (radgocitabine) (導入)	新成分	再発・難治性急性骨髄性白血病	■							
NS-161 (自社)	新成分	炎症性疾患	■							
NS-025 (自社)	新成分	泌尿器疾患	■							

■ : 2022年度決算時からの変更箇所 10

研究開発の進捗状況（海外）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ヒルトラレクソン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー						PIII 実施中		
CAP-1002 (提携)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								
NS-018 (ilginatinib) (自社)	新成分	骨髄線維症								
NS-089/NCNP-02 (brogidirsen) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								

■ : 2022年度決算時からの変更箇所 11

参考資料

財政状況



(百万円)	2022年度	2023年度	差異		2022年度	2023年度	差異
	期末実績	1Q実績			期末実績	1Q実績	
資産	237,451	237,408	△ 42	負債	41,518	34,609	△ 6,908
(流動資産)	157,873	154,771	△ 3,101	(流動負債)	35,183	28,655	△ 6,527
(非流動資産)	79,578	82,636	+3,058	(非流動負債)	6,334	5,953	△ 381
				資本	195,933	202,799	+6,866
合 計	237,451	237,408	△ 42	合 計	237,451	237,408	△ 42

= 資産の部 =

現金及び現金同等物	△ 4,795
棚卸資産	△ 840
その他の金融資産	+2,810

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	△ 4,177
未払法人所得税等	△ 3,848
利益剰余金	+4,910



- 開発段階** : 国内 発売
 : 米国 発売
 : グローバルPIII試験実施中
- 開発形態** : 自社開発
- 作用機序** : エクソン53スキッピング
- 適 応 症** : デュシェンヌ型筋ジストロフィー
- 剤 型** : 注射剤
- 特 徴** :
 • 欠損したジストロフィンの産生を回復
 させて疾患の進行抑制と病態改善を期待
 • 高い安全性が示唆されるモルフォリノ
 核酸をベースに活性を最大化



－ 高リスク急性骨髄性白血病治療剤 －

開発段階： 申請中

開発形態： 自社開発

2017/3 ジャズ・ファーマシューティカルズ社
より導入

作用機序： 抗腫瘍効果

適 応 症： 高リスク急性骨髄性白血病（高リスクAML）

剤 型： 注射剤

特 徴：

- ・シタラビンとダウノルビシンのリポソーム製剤
- ・国内初の高リスクAML治療剤で、最も抗腫瘍効果の高い比率（5：1、モル比）で有効成分を放出することにより、高い有効性と副作用の低減が期待される

ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)



－ 難治てんかん治療剤 －

- 開発段階：** 〈ドラベ症候群〉 発売
〈レノックス・ガストー症候群〉 申請中
〈CDKL5欠損症〉 PIII試験
- 開発形態：** ユーシービー社（旧ゾジェニックス社）が実施
2019/3 ユーシービー社（旧ゾジェニックス社）
と日本国内における販売提携契約を締結
- 作用機序：** セロトニン放出を介した複数の5-HT受容体
サブタイプの活性化作用
- 適 応 症：** ドラベ症候群
レノックス・ガストー症候群
CDKL5欠損症
- 剤 型：** 経口液剤
- 特 徴：** ・ 既存治療に不応な難治例に有効
・ 他剤との併用が可能（難治てんかんの治療
は薬剤併用を基本とする）



デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤

- 開発段階**：米国 PIII 試験
- 開発形態**：カプリコール・セラピューティクス社が実施
カプリコール・セラピューティクス社と販売
提携契約(2022/1 米国、2023/2 国内)を締結
- 作用機序**：心筋由来細胞によるエクソソーム放出
- 適応症**：デュシェンヌ型筋ジストロフィー
- 剤型**：注射剤
- 特徴**：
 - ・本剤から分泌されるエクソソームによる、酸化ストレス・炎症・線維化の低減、細胞エネルギーや筋細胞の生成の増加により、運動機能や心機能を改善することが期待される
 - ・遺伝子変異の種類に依らず、幅広い患者層が対象となる



開発段階： 〈LN〉 PIII試験

〈PNS〉 PIII試験

開発形態： 中外製薬株式会社と共同開発

2012/11 中外製薬株式会社より導入

作用機序： 抗CD20モノクローナル抗体

適 応 症： ループス腎炎 (LN)

小児特発性ネフローゼ症候群 (PNS)

剤 型： 注射剤

特 徴： 速やかかつ確実なB細胞殺傷効果が期待される



- 開発段階**：
〈ASO〉 P II b試験
〈小児PAH〉 P II試験
- 開発形態**：
〈ASO〉 自社開発
〈小児PAH〉
ヤンセンファーマ株式会社と共同開発
- 作用機序**：
選択的プロスタサイクリン (IP)
受容体アゴニスト
- 適 応 症**：
閉塞性動脈硬化症 (ASO)
小児肺動脈性肺高血圧症 (小児PAH)
- 剤 型**：
錠剤
- 特 徴**：
長時間作用型経口剤



開発段階： 〈子宮内膜症〉 P II b試験
〈CP/ CPPS〉 P II a試験

開発形態： 自社開発

作用機序： 膜結合型プロスタグランジンE合成酵素-1
(mPGES-1) 阻害

適 応 症： 子宮内膜症
慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群

剤 型： 経口剤

特 徴：

- ・ ホルモン作用のない子宮内膜症治療剤で鎮痛効果と病巣の改善効果が期待される
- ・ 安全性の高いCP/ CPPS治療剤として長期の疼痛コントロールが期待される



— 骨髄線維症治療剤 —

開発段階： グローバルP II 試験

開発形態： 自社開発

作用機序： JAK 2 阻害

適 応 症： 骨髄線維症

剤 型： 錠剤

特 徴：

- ・ 強力なJAK 2 阻害作用と活性化型JAK 2 に対する選択性が高い
- ・ 血小板数が少ない骨髄線維症患者に対し、高い有効性と安全性が期待される



開発段階： グローバルP II 試験準備中

開発形態： 自社開発

作用機序： エクソン44スキッピング

適 応 症： デュシェンヌ型筋ジストロフィー

剤 型： 注射剤

特 徴：

- ・ 欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待
- ・ 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化



— 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤 —

開発段階： グローバルP II 試験準備中

開発形態： 自社開発

作用機序： JAK 1 阻害

適応症： 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症（EGPA）

剤型： 経口剤

特徴：

- ・ 強力なJAK 1 阻害作用を有する
- ・ JAK 1 選択性の高さに基づき、高い有効性と安全性が期待される



開発段階： P I / II 試験

開発形態： 自社開発

2021/3メナリーニ社より導入

作用機序： CD123を標的とする抗がん作用

適応症： 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍

剤型： 注射剤

特徴： IL-3とジフテリアトキシンの融合蛋白質であり、CD123を発現するがん細胞に取り込まれ、がん細胞を死に至らしめることで効果を発現する



開発段階： グローバルP I / II 試験準備中

開発形態： 自社開発

作用機序： エクソン50スキッピング

適 応 症： デュシェンヌ型筋ジストロフィー

剤 型： 注射剤

特 徴：

- ・ 欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待
- ・ 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化



開発段階： P I 試験

開発形態： 自社開発

2017/3 デルタフライファーマ社より導入

作用機序： 代謝拮抗剤と異なる殺細胞作用

適 応 症： 再発・難治性急性骨髄性白血病

剤 型： 注射剤

特 徴：

- ・既存の代謝拮抗剤とは異なる作用メカニズム
- ・低用量持続静注による、高い有効性と安全性を示す（高齢者にも投与可能、重篤な消化管障害等の非血液学的毒性が低い）



開発段階：PI試験
開発形態：自社開発
作用機序：非開示
適応症：炎症性疾患
剤型：経口剤



開発段階：PI試験
開発形態：自社開発
作用機序：非開示
適応症：泌尿器疾患
剤型：経口剤

将来見通しに関する注意事項

- ▶本発表において提供される資料ならびに情報は、いわゆる「見通し情報」を含みます。これらの文書は、現在における見込み、予測、リスクを伴う想定、実質的にこれらの文書とは異なる現実的な結論、結果を招きうる不確実性に基づくものです。
- ▶それらリスクや不確実性には、一般的な業界ならびに市場の状況、金利、貨幣為替変動といった一般的な国内および国際的な経済状況が含まれます。リスクや不確実性は、特に製品に関連した見通し情報に存在します。製品のリスク、不確実性には、技術的進歩、特許の競合他社による獲得、臨床試験の完了ならびに中止、製品の安全性ならびに効果に関するクレームや懸念、規制機関からの承認取得、国内外の社会保障制度関連改革、健康管理コスト抑制への傾向、国内外の事業に影響を与える政府の法規制、新製品開発に付随する課題などが含まれますが、これらに限定されるものではありません。
- ▶また、承認済み製品に関しては、製造およびマーケティングのリスクがあり、需要を満たす製造能力を欠く状況、原材料の入手困難、他社との競合などが含まれますが、これに限定されるものではありません。
- ▶新しい情報、将来の出来事もしくははその他の事項より、見通し情報に更新もしくはは改正が望ましい場合であっても、それを行う意図を有するものではなく、義務を負うものではありません。



日本新薬株式会社

2024年3月期第1四半期決算説明会

2023年8月10日

登壇

枝光：日本新薬、経営企画・サステナビリティ担当の枝光平憲でございます。本日はお忙しいなか、当社の決算説明会にご参加いただき、誠にありがとうございます。厚く御礼申し上げます。

早速ですが、web サイト掲載のプレゼンテーション資料に沿いまして、2023 年度第 1 四半期の業績と研究開発の進捗状況について説明させていただきます。

2023年度 第1四半期概要



◆ 売上収益	：	37,012 百万円	(対前年同期比 + 3.9%)
◆ 営業利益	：	11,163 百万円	(対前年同期比 + 8.6%)
◆ 税引前四半期利益	：	11,440 百万円	(対前年同期比 + 8.8%)
◆ 親会社の所有者に帰属する 四半期利益	：	8,749 百万円	(対前年同期比 + 6.1%)



2023 年度第 1 四半期の業績の概要ですが、連結売上収益 370 億 1 千 2 百万円、営業利益 111 億 6 千 3 百万円、税引前四半期利益 114 億 4 千万円、親会社の所有者に帰属する四半期利益は 87 億 4 千 9 百万円となりました。

医薬品売上収益の内訳

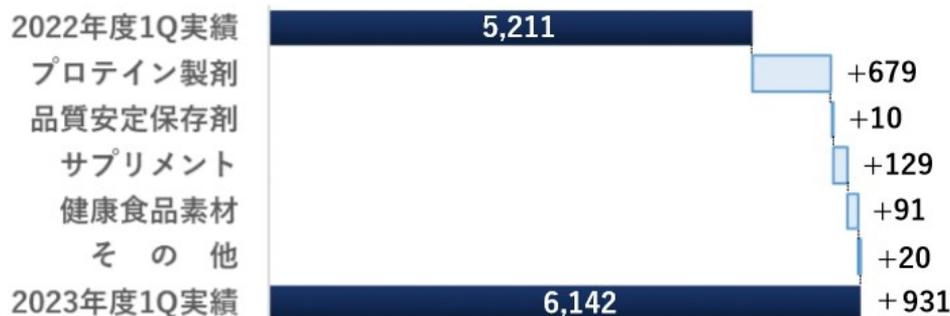


(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
医薬品	20,900	68.7%	19,454	63.0%	△1,445	△6.9%
工業所有権等収益	6,903	22.7%	9,104	29.5%	+2,201	+31.9%
共同販促収入	2,603	8.6%	2,310	7.5%	△292	△11.2%
医薬品合計	30,407	100.0%	30,870	100.0%	+462	+1.5%

薬価改定の影響や後発品の影響があったものの、「ビルテプソ」、「ウプトラビ」等の医薬品売上の伸長、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、医薬品売上収益は1.5%の増収となりました。

医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響があったものの、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ」、肺動脈性肺高血圧症・慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤「ウプトラビ」、同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、医薬品事業の連結売上収益は、308億7千万円と、対前年同期比1.5%の増収となりました。

機能食品売上収益の内訳

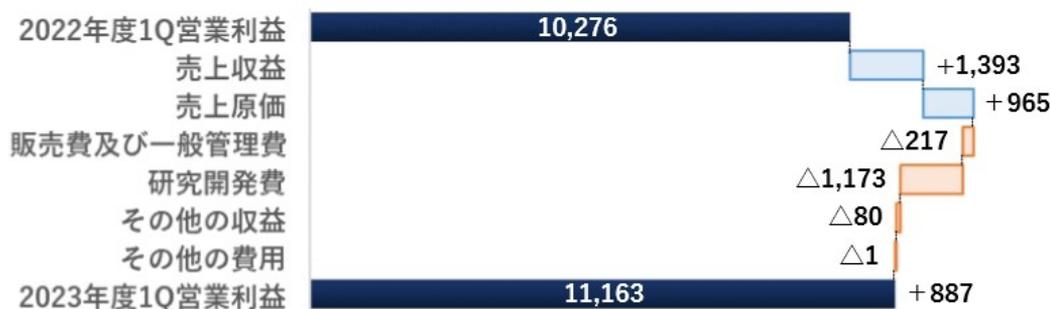


(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
プロテイン製剤	3,605	69.2%	4,284	69.8%	+679	+18.9%
品質安定保存剤	726	13.9%	736	12.0%	+10	+1.4%
サプリメント	335	6.4%	464	7.6%	+129	+38.7%
健康食品素材	214	4.1%	306	5.0%	+91	+42.7%
その他	330	6.4%	350	5.6%	+20	+6.2%
機能食品合計	5,211	100.0%	6,142	100.0%	+931	+17.9%

プロテイン製剤、サプリメント等の売上が増加し、機能食品売上収益は17.9%の増収となりました。

機能食品事業ですが、プロテイン製剤やサプリメントなどの売上が増加し、機能食品事業の連結売上収益は、61億4千2百万円と、対前年同期比17.9%の増収となりました。

営業利益



(百万円)	2022年度1Q		2023年度1Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	35,619	100.0%	37,012	100.0%	+1,393	+3.9%
（医薬品）	(30,407)	(85.4%)	(30,870)	(83.4%)	(+462)	(+1.5%)
（機能食品）	(5,211)	(14.6%)	(6,142)	(16.6%)	(+931)	(+17.9%)
売上原価	13,928	39.1%	12,962	35.0%	△ 965	△ 6.9%
販売費及び一般管理費	8,200	23.0%	8,418	22.7%	+217	+2.7%
研究開発費	4,738	13.3%	5,911	16.0%	+1,173	+24.8%
その他の収益	1,652	4.6%	1,572	4.2%	△ 80	△ 4.8%
その他の費用	128	0.3%	129	0.3%	+1	+1.0%
営業利益	10,276	28.9%	11,163	30.2%	+887	+8.6%

売上原価率は、工業所有権等収益の増加を含む、売上構成等の要因により、前年同期と比べ4.1ポイント改善し、35.0%となりました。販売費および一般管理費は、「ウプトラビ」の国内売上増加に伴う販促委託料の増加などにより、84億1千8百万円と、対前年同期比2.7%の増加となりました。

研究開発費は、臨床試験の進展に伴う委託研究費の増加などにより、59億1千1百万円と、対前年同期比24.8%の増加となりました。

結果として、営業利益は111億6千3百万円と、対前年同期比8.6%の増益となりました。

親会社の所有者に帰属する四半期利益



(百万円)	2022年度1Q 実績	2023年度1Q 実績	差異	増減率
営業利益	10,276	11,163	+887	+8.6%
金融収益	266	298	+31	+12.0%
金融費用	28	21	△6	△23.1%
税引前四半期利益	10,514	11,440	+925	+8.8%
法人所得税費用等	2,265	2,690	+425	+18.8%
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	8,249	8,749	+500	+6.1%

税引前四半期利益は、114億4千万円と、対前年同期比8.8%の増益、親会社の所有者に帰属する四半期利益につきましては、87億4千9百万円と、対前年同期比6.1%の増益となりました。

2023年度 連結業績予想



(百万円)	2022年度		2023年度			
	1 Q 実績	年度 実績	1 Q 実績	対上期 進捗率	上期 予想	年度 予想
売上収益	35,619	144,175	37,012	51.8%	71,500	145,000
（医薬品）	(30,407)	(121,988)	(30,870)	(51.0%)	(60,500)	(123,500)
（機能食品）	(5,211)	(22,187)	(6,142)	(55.8%)	(11,000)	(21,500)
営業利益	10,276	30,049	11,163	69.8%	16,000	32,000
税引前利益	10,514	30,489	11,440	70.6%	16,200	32,500
親会社の所有者に帰属する 当期利益	8,249	22,812	8,749	70.6%	12,400	25,000

売上収益、各利益ともに上期予想、
年度予想に対して順調に進捗しています。

2023年度 通期連結業績予想につきましては、5月11日の決算公表時より変更はなく、連結売上収益は1,450億円、連結利益は、営業利益320億円、税引前利益325億円、親会社の所有者に帰属する当期利益250億円を見込んでおります。

研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ビルテプソ) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー						PIII 実施中		
NS-87 (daunorubicin / cytarabine) (導入)	新配合	高リスク急性骨髄性白血病								
ZX008 (アムホテリン塩酸塩) (販売提携)	新効能	レノックス・ガストー症候群								
		CDKL5欠損症								
GA101 (オビヌズマブ) (導入)	新効能	ループス腎炎								
		小児特発性ネフロゼ症候群								
NS-304 (シネキノゲ) (自社)	新効能	閉塞性動脈硬化症								
	新用量	小児肺動脈性肺高血圧症								



■ : 2022年度決算時からの変更箇所 ⁹

ひき続きまして、研究開発品目の進捗状況について説明いたします。

まずは国内の開発状況について説明いたします。エクソン 53 をスキップさせる、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-065/NCNP-01、ビルテプソ」につきましては、2020年5月より販売を開始し、現在グローバルフェーズ3試験を実施中です。

高リスク急性骨髄性白血病治療剤「NS-87」につきましてはフェーズ1/2試験を終了し、2023年6月に承認申請を行いました。

難治てんかん治療剤「ZX008」につきましては、2023年6月にユーシービー社が、レノックス・ガストー症候群の適応について、効能追加の一部変更承認申請を行いました。

また、2023年7月よりCDKL5欠損症を対象としたフェーズ3試験をユーシービー社が実施中です。

「GA101」につきましては、中外製薬株式会社と共同で、ループス腎炎を対象としたフェーズ3試験を実施中です。

また、小児特発性ネフローゼ症候群を対象としたフェーズ3試験を実施中です。

「NS-304」につきましては、閉塞性動脈硬化症を適応として、日本新薬が単独で、フェーズ2b試験を実施中です。

また、小児の肺動脈性肺高血圧症を対象としたフェーズ2試験を、ヤンセンファーマ株式会社と共同で実施中です。

研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-580 (自社)	新成分	子宮内膜症	■	■	■	■	■			
		慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	■	■	■	■	■			
NS-089/NCNP-02 (brogidirsen) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	■	■	■	■				
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	■	■	■	■				
NS-401 (tagraxofusp) (導入)	新成分	芽球形形質細胞様樹状細胞腫瘍	■	■	■					
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	■	■						
NS-917 (radgocitabine) (導入)	新成分	再発・難治性急性骨髄性白血病	■							
NS-161 (自社)	新成分	炎症性疾患	■							
NS-025 (自社)	新成分	泌尿器疾患	■							



■ : 2022年度決算時からの変更箇所 ¹⁰

子宮内膜症治療剤「NS-580」につきましては、フェーズ2b試験を実施中です。

また、2023年6月より慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群を対象としたフェーズ2a試験を開始しました。

エクソン44をスキップさせる、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-089/NCNP-02」につきましては、グローバルフェーズ2試験を準備中です。

好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤「NS-229」につきましては、グローバルフェーズ2試験を準備中です。

芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤「NS-401」につきましては、フェーズ1/2試験を実施中です。

エクソン50をスキップさせる、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-050/NCNP-03」につきましては、グローバルフェーズ1/2試験を準備中です。

再発・難治性急性骨髄性白血病治療剤「NS-917」につきましては、フェーズ1試験を実施中です。

炎症性疾患を適応として開発中の「NS-161」、泌尿器疾患を適応として開発中の「NS-025」につきましては、フェーズ1試験を実施中です。

研究開発の進捗状況（海外）



開発品目	申請区分	適応症等	PI	PI/II準備中	PI/II	PII準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ビルテプソン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー						PIII 実施中		
CAP-1002 (提携)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								
NS-018 (ilginatnib) (自社)	新成分	骨髄線維症								
NS-089/NCNP-02 (brogidirsen) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー								

続きまして、海外の開発状況について説明いたします。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-065/NCNP-01、ビルテプソン」につきましては、2020年8月に米国で販売を開始し、現在グローバルフェーズ3試験を実施中です。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「CAP-1002」につきましては、カプリコール・セラピューティクス社と、2022年1月に米国、2023年2月に国内における販売提携契約を締結しました。現在、カプリコール・セラピューティクス社が米国でフェーズ3試験を実施中です。

骨髄線維症治療剤「NS-018」につきましては、グローバルフェーズ2試験を実施中です。

繰り返しになりますが、「NS-089/NCNP-02」、「NS-050/NCNP-03」および「NS-229」につきましては、現在グローバル試験を準備中です。

以上、研究開発の進捗状況の説明を、終わらせていただきます。

2023 年度 第 1 四半期 決算説明会 Q&A (要約)

2023 年 8 月 10 日開催

NO	質問内容	回答
1	1Q の利益全体の進捗はかなり良いと感じた。上期計画に対する利益の進捗が良い理由と、通期の見通しについて教えてほしい。	売上収益に関しては、全体的に順調に進捗した。さらに、為替が円安に振れたことで、米国ビルテプソの売上やウプトラビのロイヤリティ収入が想定以上に伸びた。その結果、全体的な売上は強含みとなっている。費用については、販管費の進捗は計画通りだが、研開発は一部核酸原薬製造のスケジュールが下期にずれため若干進捗が遅れている。通期では費用は計画通りに進捗すると考える。
2	為替の実績と前提はいくらか。	実績は 1 ドル 137.5 円、前提は 1 ドル 130 円である。
3	その他収益が 15 億円程度あるが、この中身は為替差益なのか。もしくは、それ以外の要素なのか。	為替差益である。前年度は 15 億円程度、今年度は 14 億円程度である。
4	国内ビルテプソの状況について教えてほしい。通期は増収計画であるのに対して、1Q は減収となっており、進捗率もあまり高くないように見えるが、この要因はなにか。また、今後の見通しについてはどう考えているのか。	1Q に、中断された患者さんはおらず、新患の獲得および投与再開があった。今後、この投与患者数増加が売上に結びついてくると考えている。
5	国内ビルテプソの状況について教えてほしい。中医協の資料では、ピーク時の投与患者数は 128 名であったと思う。前年度末時点で、90 名程度への投与が行われていると聞いている。1Q の売上はほぼ横ばいであるが、現状、何名へ投与が行われているのか。毎年の投与患者数の増加はどのくらいのペースなのか教えてほしい。	1Q に、数名の新規患者さんへの投与が開始されており、90 名プラスアルファへの投与が行われている。また、脱落はなかった。中医協の資料のピーク時 128 名に対する進捗については、現状、把握している患者数は多く存在するものの、年齢が高めの方も多く、投与がされておらず、投与患者数は 90 数名にとどまっている。一方で、脱落より新患が多く、徐々に投与患者数は増えていくと考えている。
6	米国ビルテプソの状況について教えてほしい。米国では遺伝子治療が迅速承認されプロモーションも始まり、患者さんやお医者さんの関心が高まっていると思うが、遺伝子治療に対する評判やビルテプソへの影響は現状、どのように見ているのか教えてほしい。	遺伝子治療は米国で迅速承認され、先般、サレプタ社は、すでに 1 例に対して投与が行われたことを発表していた。今後は、米国において遺伝子治療の投与が進んでいくと思っている。当社としては、ビルテプソの効果を十分にアピールし、今まで通り活動していけば大きな影響はないと考えている。影響を受けるかどうかについては、今後わかってくると考える。年内には遺伝子治療の P3 試験データが出てくるとのことなので、我々も注視していく必要がある。

7	米国ビルテプソの状況について教えてほしい。米国ビルテプソの売上に関しては、良い数字であると考えている。6月からクイックスタートプログラムが開始されたと思うが、1Qの実績にはクイックスタートプログラムの貢献はまだない状況であり、2Qから貢献が加速していくと考えているが、その認識で良いか。	クイックスタートプログラムに関しては、HUBサービスの委託業者の変更も順調に終わり、6月から開始されたため、6月以降に徐々に効果が現れると期待している。
8	米国において、ビルテプソの投与に向けて準備を進めている新規患者さんのうち、遺伝子治療に強い興味を持たれている患者さんがいるかどうかという情報はあるのか。	そのような情報はない。
9	ビルテプソの P2 長期投与試験である Galactic53 試験は 6 月に終わっていると思うが、この結果は秋ごろには発表される予定なのか。	データの QC や解析の時間なども必要であり、また学会などの場で、しかるべきタイミングでデータを発表したいと考えており、発表は来年となる予定である。
10	ビルテプソの P3 試験データは年内にはでないのか。	まだでない。2024 年 12 月の試験終了を予定している。
11	NS-089 と NS-050 は上期に FPI と伺っているが、NS-089、NS-050、NS-051 の開発状況について、それぞれもう少し具体的に教えてほしい。	NS-089 については、上期に FPI の予定で進めている。NS-050 についても同じく上期に FPI に向けて進めているが、こちらは施設との契約の兼ね合いで、上期に間に合わない可能性が少しあるが、ほぼ当初の予定通り進んでいる。NS-051 は当初の予定通り本年度内の試験開始に向け、FDA と議論を進めている状況である。
12	NS-089 はブレイクスルーセラピー指定を受けたが、その意義やインパクトを教えてほしい。また、現在開発中の他の核酸品目についてもブレイクスルーセラピー指定を受けることができるのかどうか教えてほしい。	これまでは、FDA との議論は特定のミーティングのみであったが、今後は NS-089 の開発に関しては、FDA から適宜支援を受けることができる。また、審査に対しても FDA はコミットする。FDA から全面的に支援を受けられることは大きな意義があると思っている。他の品目のブレイクスルーセラピー指定については、機会があればチャレンジしたいが、状況は各品目で異なるため一概にすべての品目が同じルールに乗れるかは今後の状況次第であると考えている。
13	CAP-1002 の中間解析が年内の予定だと思う。年内は残り 4 か月強で、ClinicalTrials.gov を見ると、まだ患者さんをリクルート中となっている。現在の状況について教えてほしい。	試験は予定通り進んでおり、中間解析も予定通り 12 月までに実施される予定であると聞いている。現時点で、目標症例数 68 例に対して 48 例がエントリーされている。
14	CAP-1002 について教えてほしい。日米の審査当局は、細胞治療などのメカ	特段、細胞治療だからと言って、審査にマイナスに影響するとは考えていない。

	ニズムがはっきりしていない品目の承認はなかなか難しいという流れがあると聞いている。CAP-1002 はアロの CDC を投与するもので、メカニズムが若干ぼんやりしていると思う。今後、仮に CAP-1002 の試験結果が良かったとしても、メカニズムがクリアでないことで、FDA の審査が順調にいかないリスクは想定しているのか。	現在実施している P3 試験が検証試験となるため、この試験にて有効性がはっきりと確認できれば、細胞治療に関わらず、間違いなく承認が取れると考える。メカニズムに関しても、抗炎症や抗線維化作用などがクリアに出てきているため、メカニズム的に説明がつかないわけではない。
15	NS-018 は欧州のオーファン指定を取得しているが、患者のリクルート状況はどうか。欧州やアジアで治験サイトを増やしていると思うが、来年の 4 月の試験終了の予定に変更はないのか。	スタートが遅れたという経緯があるものの、欧州の施設数を増やしており、その後は比較的順調に患者さんがエントリーし始めている。これからは、どの程度当初の予定に追いついていけるかを見定めていく。
16	NS-229 について、適応が好酸球性多発血管炎性肉芽腫症 (EGPA) と開示されているが、患者数や、この疾患に対して JAK1 阻害剤がなぜ効果的なのかを説明してほしい。	この疾患は自己免疫疾患であり、難病指定されている。患者数は国内で 6,000 名程度という情報がある。自己免疫疾患のため、ベース治療としてステロイドが使用されているが、再発を繰り返すため、医療ニーズがある。JAK1 は免疫を抑える作用があり、ステロイドの使用を減らすために使用されることを期待している。
17	NS-229 と同じような JAK1 阻害剤は、他社で開発されているのか。	EGPA に対しての JAK1 阻害剤は本剤のみである。
18	NS-229 について、JAK1 阻害剤ということで、他の疾患への適応拡大について関心がある。まずは現在の疾患に対して P2 試験を実施し、その後適応拡大を行うという理解で良いか。JAK1 は安全性に問題があると思うが、今後の適応拡大の可能性について教えてほしい。	免疫を抑えるメカニズムであるため、EGPA に加えて、他の炎症性疾患への適応拡大を検討している。
19	NS-229 の適応拡大候補について、炎症性疾患であれば、アトピー、自己免疫疾患であれば潰瘍性大腸炎クローン病などがあると思う。現在のデータから、こういった疾患に適していると考えているのか。	他の先行する JAK1 阻害剤がすでに発売されている領域に関しては、すでに治療ニーズが満たされていると考えており、参入することはないと考える。EGPA のような JAK1 阻害剤がまだ使用されておらず、アンメットメディカルニーズが存在する疾患の方が、本剤に対するニーズがあると考えている。そのような疾患への適応拡大を考えている。
20	NS-580 について、6 月から慢性前立腺炎／慢性骨盤痛症候群の P2a 試験を開始したとのことだが、子宮内膜症の適応で P2a 試験は終わっているのに、痛みを止めることに対しては、POC は取れているという理解で良いか。	そうである。
21	NS-580 の適応疾患について、なぜ慢性前立腺炎／慢性骨盤痛症候群を選んだ	適応疾患の候補はいくつかあったが、当社が泌尿器領域に強みを持っている点が

	のか教えてほしい。	1 つである。疾患の特性という点では、痛みに対して本剤が効果を示すことを確認している。痛みを短期的に抑えるのであれば、他の薬剤もあるが、慢性的に痛みを抑えることに関しては、長期間にわたって使用できる薬剤がないため、そのような観点で、慢性的に痛みや不快感が続く慢性前立腺炎／慢性骨盤痛症候群に対する開発を決断した。
22	膜結合型プロスタグランジン E 合成酵素-1 阻害に関しては、他の会社も開発していたと思うが、現状は、御社がトップバッターという理解で良いか。	その理解で良い。
23	NS-580 に関して、海外はライセンスアウトすることは考えていないのか。	その可能性も考えられる。
24	機能食品事業の状況について教えてほしい。通期計画では、販売価格の低下等により減収の計画だが、1Q の実績からはその心配が感じられない。2Q 以降は販売価格が下がり減収方向に進むのか、あるいは状況が変わってきているのか。	原料価格については低下し安定してきているものの、為替の影響に左右されるため、販売価格については不確かな部分もある。今後、為替が円高に振れると販売価格が下がってくると思う。一方で、コロナウイルス感染症の影響が解消されつつあり、スポーツイベントが開催されたり、インバウンドの需要が回復してきていることから、実際の数量の伸びの影響が大きいと考えている。