

# 2023年度 第3四半期 決算説明会

---

2024年2月9日  
日本新薬株式会社



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

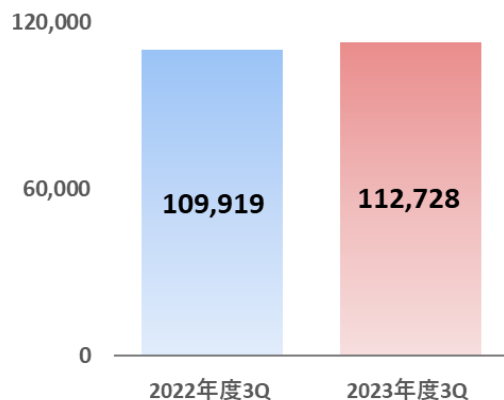
# 2023年度 第3四半期概要



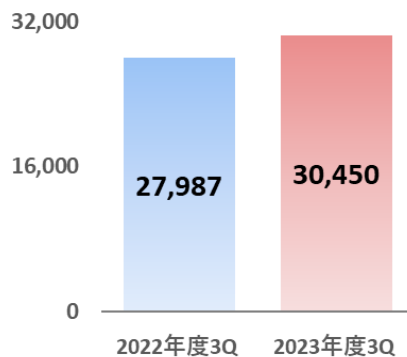
◆ 売上収益	:	112,728 百万円	(対前年同期比 + 2.6%)
◆ 営業利益	:	30,450 百万円	(対前年同期比 + 8.8%)
◆ 税引前四半期利益	:	30,973 百万円	(対前年同期比 + 9.0%)
◆ 四半期利益	:	24,002 百万円	(対前年同期比 + 5.9%)

売上収益

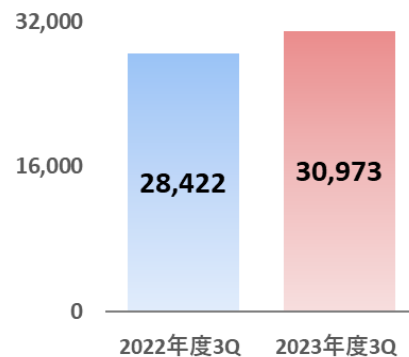
(百万円)



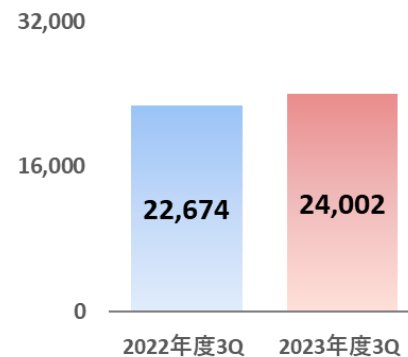
営業利益



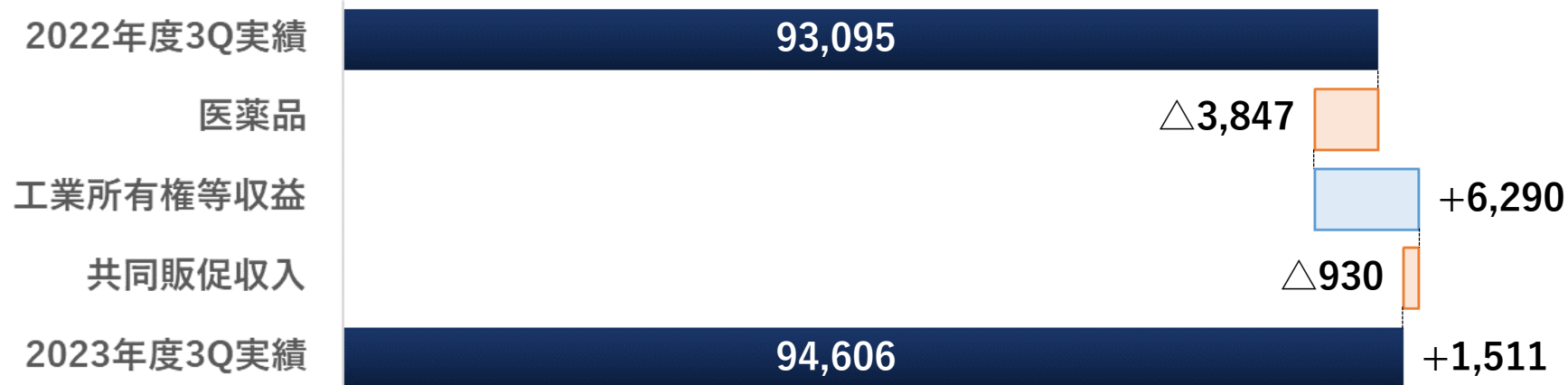
税引前四半期利益



親会社の所有者に帰属する  
四半期利益



# 医薬品売上収益の内訳

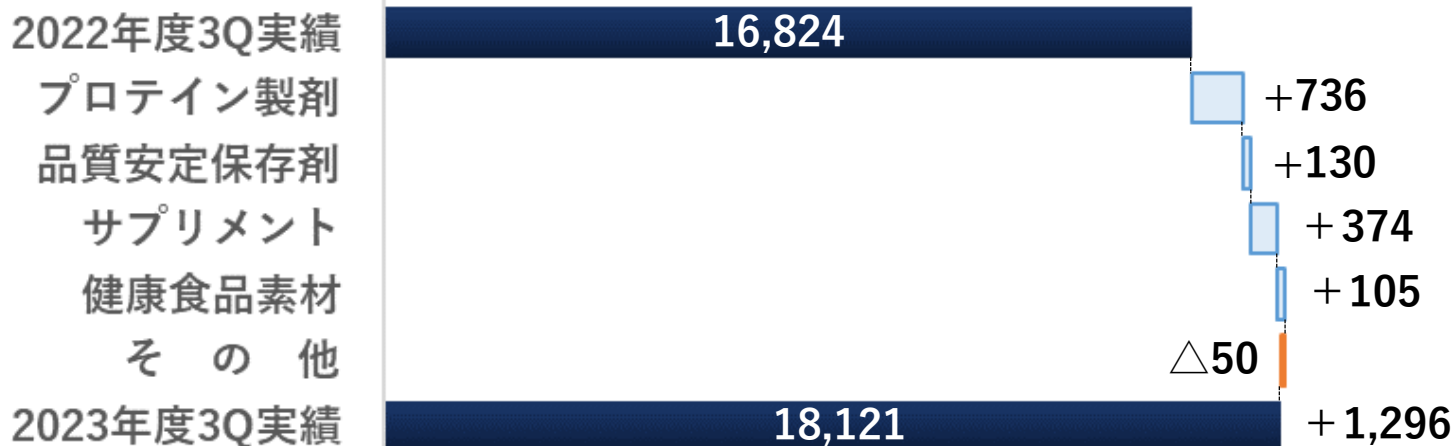


(百万円)	2022年度3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
医薬品	62,853	67.5%	59,005	62.4%	△ 3,847	△ 6.1%
工業所有権等収益	22,607	24.3%	28,897	30.5%	+6,290	+27.8%
共同販促収入	7,634	8.2%	6,703	7.1%	△ 930	△ 12.2%
医薬品合計	93,095	100.0%	94,606	100.0%	+1,511	+1.6%

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」や「ウプトラビ」などの伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入が伸長し、医薬品売上収益は1.6%の増収となりました。



# 機能食品売上収益の内訳

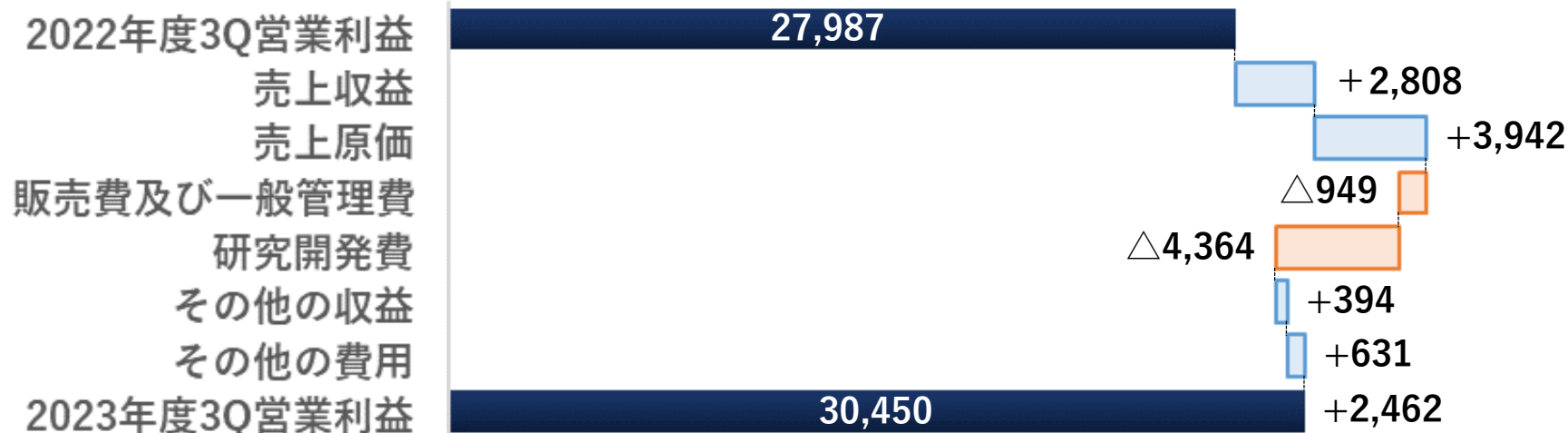


(百万円)	2022年度3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
プロテイン製剤	11,583	68.8%	12,319	68.0%	+736	+6.4%
品質安定保存剤	2,253	13.4%	2,383	13.1%	+130	+5.8%
サプリメント	1,091	6.5%	1,466	8.1%	+374	+34.3%
健康食品素材	851	5.1%	957	5.3%	+105	+12.4%
その他	1,044	6.2%	994	5.5%	△ 50	△ 4.8%
機能食品合計	16,824	100.0%	18,121	100.0%	+1,296	+7.7%

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7.7%の増収となりました。



# 営業利益



(百万円)	2022年度3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	109,919	100.0%	112,728	100.0%	+2,808	+2.6%
(医薬品)	(93,095)	(84.7%)	(94,606)	(83.9%)	(+1,511)	(+1.6%)
(機能食品)	(16,824)	(15.3%)	(18,121)	(16.1%)	(+1,296)	(+7.7%)
売上原価	42,556	38.7%	38,613	34.3%	△ 3,942	△ 9.3%
販売費及び一般管理費	24,791	22.6%	25,741	22.8%	+949	+3.8%
研究開発費	15,135	13.8%	19,500	17.3%	+4,364	+28.8%
その他の収益	1,492	1.4%	1,887	1.7%	+394	+26.4%
(為替差益)	(998)	(0.9%)	(1,361)	(1.2%)	(+362)	(+36.3%)
その他の費用	941	0.8%	309	0.3%	△ 631	△ 67.1%
営業利益	27,987	25.5%	30,450	27.0%	+2,462	+8.8%



# 親会社の所有者に帰属する四半期利益



(百万円)	2022年度3Q 実績	2023年度3Q 実績	差異	増減率
営業利益	27,987	30,450	+2,462	+8.8%
金融収益	533	611	+78	+14.8%
金融費用	98	89	△ 9	△ 9.7%
税引前四半期利益	28,422	30,973	+2,550	+9.0%
法人所得税費用等	5,748	6,970	+1,222	+21.3%
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	22,674	24,002	+1,328	+5.9%

# 2023年度 連結業績予想



(百万円)	2022年度		2023年度		年度 差異	年度 増減率
	3Q 実績	年度 実績	3Q 実績	年度 予想		
売上収益	109,919	144,175	112,728	147,000	+2,825	+2.0%
（医薬品）	(93,095)	(121,988)	(94,606)	(125,000)	+3,012	+2.5%
（機能食品）	(16,824)	(22,187)	(18,121)	(22,000)	△ 187	△ 0.8%
営業利益	27,987	30,049	30,450	33,500	+3,451	+11.5%
税引前利益	28,422	30,489	30,973	34,000	+3,511	+11.5%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	22,674	22,812	24,002	26,000	+3,188	+14.0%

為替レート	2022年度		2023年度	
	3Q 実績	年度 実績	3Q 実績	下期 想定
1USD	136.5円	135.5円	143.3円	140.0円

売上収益、各利益ともに年度予想に対して  
順調に進捗しています。

# 研究開発の進捗状況

---



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



# 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ビ'ルト'レン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年度春頃 P3データ発表予定						PIII 解析中		
NS-87 (daunorubicin / cytarabine) (導入)	新配合	高リスク急性骨髄性白血病	申請：2023年度 承認見込：2023年度								
ZX008 (フェン'フル'ミン塩酸塩) (販売提携)	新効能	レノックス・ガストー症候群	申請：2023年度 承認見込：2023年度								
		CDKL5欠損症	試験終了：2026年度								
GA101 (杞'アズ'マブ) (導入)	新効能	ループス腎炎	適応拡大：2026年度以降								
		小児特発性ネフローゼ症候群	適応拡大：2026年度以降								
		腎症を伴わない 全身性エリテマトーデス	適応拡大：2026年度以降								

※スケジュールにはjRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載



# 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-304 (セルシパグ) (自社)	新効能	閉塞性動脈硬化症	試験終了：2024年度								
	新用量	小児肺動脈性肺高血圧症	試験終了：2025年度								
NS-580 (自社)	新成分	子宮内膜症	試験終了：2023年度								
		慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	試験終了：2024年度								
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	試験終了：2025年度								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2025年度								
NS-401 (tagraxofusp) (導入)	新成分	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度								

※スケジュールにはjRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載



# 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI／II 準備中	PI／II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-917 (radgocitabine) (導入)	新成分	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2024年度								
NS-161 (自社)	新成分	炎症性疾患	試験終了：2024年度								
NS-025 (自社)	新成分	泌尿器疾患	試験終了：2024年度								
NS-863 (自社)	新成分	循環代謝系疾患	試験終了：2024年度								

※スケジュールにはjRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

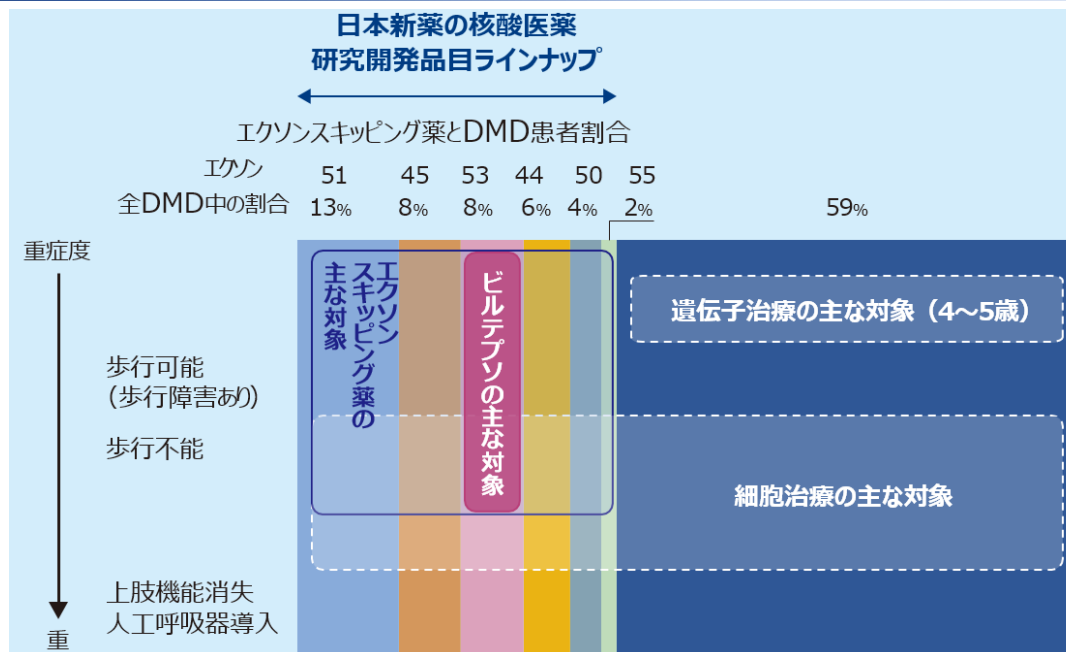
# 研究開発の進捗状況（海外）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ビルトルセン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年度春頃 P3データ発表予定						PIII 解析中		
CAP-1002 (提携)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	Topline data：2024年末								
NS-018 (ilginatinib) (自社)	新成分	骨髄線維症	試験終了：2024年度（TBD）								
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	試験終了：2025年度								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2025年度								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度								

※スケジュールにはjRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

# 現在のDMD治療の考え方



(百万円)	第3四半期累計				通期	
	2022年度	2023年度	前年同期増減率	進捗率	2022年度	2023年度
ビルテプソ	10,717	13,225	23.4%	72.3%	14,341	18,300
(内.日本)	(3,188)	(3,332)	(4.5%)	(69.4%)	(4,139)	(4,800)
(内.米国)	(7,528)	(9,892)	(31.4%)	(73.3%)	(10,201)	(13,500)

- 核酸医薬（エクソンスキッピング）、細胞（エクソソーム）治療、遺伝子治療の3つの治療法については、患者さんの遺伝的背景や疾患進行度に応じて、最適な治療法が選択されると考えます。
- 2023年に遺伝子治療薬が発売された米国において、ビルテプソの売上は伸長しました。



# 参 考 資 料

---

# 財政状況



(百万円)	2022年度 期末実績	2023年度 3Q実績	差異		2022年度 期末実績	2023年度 3Q実績	差異
資産	237,451	247,830	+10,378	負債	41,518	32,513	△ 9,004
(流動資産)	157,873	160,901	+3,028	(流動負債)	35,183	27,193	△ 7,989
(非流動資産)	79,578	86,928	+7,350	(非流動負債)	6,334	5,319	△ 1,014
				資本	195,933	215,316	+19,383
合 計	237,451	247,830	+10,378	合 計	237,451	247,830	+10,378

## = 資産 =

その他の金融資産（非流動）	+ 6,037
その他の流動資産	+ 3,504
営業債権及びその他の債権	+ 2,821

## = 負債及び資本 =

未払法人所得税	△ 5,435
退職給付に係る負債	△ 617
利益剰余金	+ 16,023





**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
- ・国内初の二次性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、高い有効性を発揮する



## － 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  
〈腎症を伴わないSLE〉 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)  
腎症を伴わない全身性エリテマトーデス(SLE)
- 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(CP/CPPS)

**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



## － 骨髓線維症治療剤 －

**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：** 骨髓線維症

**剤 型：** 錠剤

**特 徴：**

- ・ 強力なJAK 2 阻害作用と活性型JAK 2 に対する選択性が高い
- ・ 血小板数が少ない骨髓線維症患者に対し、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



## － 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 －

**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



## － デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

**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



## － 再発・難治性急性骨髄性白血病治療剤 －

**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）



## — 炎症性疾患治療剤 —

開発段階：P I 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



## — 循環代謝系疾患治療剤 —

開発段階： P I 試験

開発形態： 自社開発

作用機序： 非開示

適 応 症： 循環代謝系疾患

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その他の事項より、見通し情報に更新もしく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 3 四半期決算説明会

2024 年 2 月 9 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 3 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3四半期概要



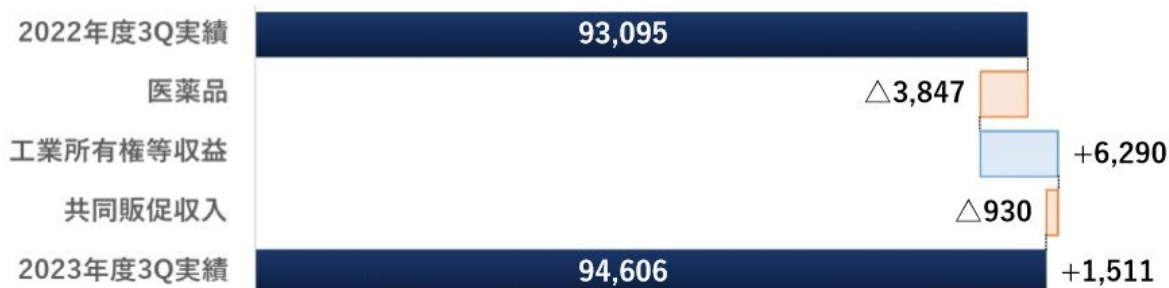
◆ 売上収益	： 112,728 百万円	(対前年同期比 + 2.6%)
◆ 営業利益	： 30,450 百万円	(対前年同期比 + 8.8%)
◆ 税引前四半期利益	： 30,973 百万円	(対前年同期比 + 9.0%)
親会社の所有者に帰属する ◆ 四半期利益	： 24,002 百万円	(対前年同期比 + 5.9%)



スライド 2 ページをご覧ください。

2023 年度第 3 四半期の業績の概要ですが、連結売上収益 1,127 億 2 千 8 百万円、営業利益 304 億 5 千万円、税引前四半期利益 309 億 7 千 3 百万円、親会社の所有者に帰属する四半期利益 240 億 2 百万円となりました。

# 医薬品売上収益の内訳



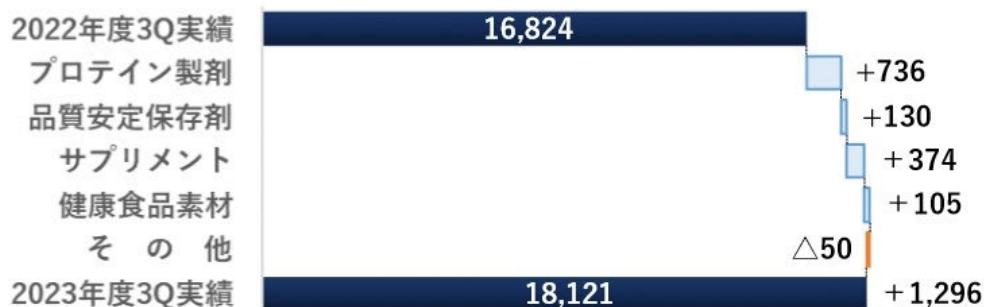
(百万円)	2022年度3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
医薬品	62,853	67.5%	59,005	62.4%	△ 3,847	△ 6.1%
工業所有権等収益	22,607	24.3%	28,897	30.5%	+6,290	+27.8%
共同販促収入	7,634	8.2%	6,703	7.1%	△ 930	△ 12.2%
医薬品合計	93,095	100.0%	94,606	100.0%	+1,511	+1.6%

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」や「ウプトラビ」などの伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入が伸長し、医薬品売上収益は1.6%の増収となりました。

スライド 3 ページをご覧ください。

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」などの伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入が伸長し、医薬品事業の連結売上収益は、946 億 6 百万円と、対前年同期比 1.6%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3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
プロテイン製剤	11,583	68.8%	12,319	68.0%	+736	+6.4%
品質安定保存剤	2,253	13.4%	2,383	13.1%	+130	+5.8%
サプリメント	1,091	6.5%	1,466	8.1%	+374	+34.3%
健康食品素材	851	5.1%	957	5.3%	+105	+12.4%
その他	1,044	6.2%	994	5.5%	△ 50	△ 4.8%
機能食品合計	16,824	100.0%	18,121	100.0%	+1,296	+7.7%

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7.7%の増収となりました。

スライド 4 ページをご覧ください。

機能食品事業ですが、プロテイン製剤や、スポーツ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、181 億 2 千 1 百万円と、対前年同期比 7.7%の増収となりました。

# 営業利益



(百万円)	2022年度3Q		2023年度3Q		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	109,919	100.0%	112,728	100.0%	+2,808	+2.6%
（医薬品）	(93,095)	(84.7%)	(94,606)	(83.9%)	(+1,511)	(+1.6%)
（機能食品）	(16,824)	(15.3%)	(18,121)	(16.1%)	(+1,296)	(+7.7%)
売上原価	42,556	38.7%	38,613	34.3%	△ 3,942	△ 9.3%
販売費及び一般管理費	24,791	22.6%	25,741	22.8%	+949	+3.8%
研究開発費	15,135	13.8%	19,500	17.3%	+4,364	+28.8%
その他の収益	1,492	1.4%	1,887	1.7%	+394	+26.4%
（為替差益）	(998)	(0.9%)	(1,361)	(1.2%)	(+362)	(+36.3%)
その他の費用	941	0.8%	309	0.3%	△ 631	△ 67.1%
営業利益	27,987	25.5%	30,450	27.0%	+2,462	+8.8%

スライド5ページをご覧ください。

売上原価率は、工業所有権等収益の増加など、売上構成等の要因により、前年同期と比べ4.4ポイント改善し、34.3%となりました。

販売費および一般管理費は、米国販売費用や「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、257億4千1百万円と、対前年同期比3.8%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費の増加などにより、195億円と、対前年同期比28.8%の増加となりました。

結果として、営業利益は304億5千万円と、対前年同期比8.8%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3Q 実績	2023年度3Q 実績	差異	増減率
営業利益	27,987	30,450	+2,462	+8.8%
金融収益	533	611	+78	+14.8%
金融費用	98	89	△ 9	△ 9.7%
税引前四半期利益	28,422	30,973	+2,550	+9.0%
法人所得税費用等	5,748	6,970	+1,222	+21.3%
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	22,674	24,002	+1,328	+5.9%

スライド 6 ページをご覧ください。

税引前四半期利益は、309 億 7 千 3 百万円と、対前年同期比 9.0%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、240 億 2 百万円と、

対前年同期比 5.9%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		年度 差異	年度 増減率
	3Q 実績	年度 実績	3Q 実績	年度 予想		
売上収益	109,919	144,175	112,728	147,000	+2,825	+2.0%
（医薬品）	(93,095)	(121,988)	(94,606)	(125,000)	+3,012	+2.5%
（機能食品）	(16,824)	(22,187)	(18,121)	(22,000)	△ 187	△ 0.8%
営業利益	27,987	30,049	30,450	33,500	+3,451	+11.5%
税引前利益	28,422	30,489	30,973	34,000	+3,511	+11.5%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	22,674	22,812	24,002	26,000	+3,188	+14.0%

為替レート	2022年度		2023年度	
	3Q 実績	年度 実績	3Q 実績	下期 想定
1USD	136.5円	135.5円	143.3円	140.0円

売上収益、各利益ともに年度予想に対して  
順調に進捗しています。

スライド 7 ページをご覧ください。

2023 年度 通期連結業績予想につきましては、昨年 11 月 13 日に発表いたしました修正計画より変更はなく、連結売上収益は 1,470 億円、連結利益は、営業利益 335 億円、税引前利益 340 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益 260 億円を見込んでおります。

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。

# 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-065/NCNP-01 (ビ'ルトラセン) (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年度春頃 P3データ発表予定						PIII 解析中		
NS-87 (daunorubicin / cytarabine) (導入)	新配合	高リスク急性骨髄性白血病	申請：2023年度 承認見込：2023年度								
ZX008 (フェンフルミン塩酸塩) (販売提携)	新効能	レノックス・ガストー症候群	申請：2023年度 承認見込：2023年度								
		CDKL5欠損症	試験終了：2026年度								
GA101 (北'マズマ') (導入)	新効能	ループス腎炎	適応拡大：2026年度以降								
		小児特発性ネフローゼ症候群	適応拡大：2026年度以降								
		腎症を伴わない 全身性エリテマトーデス	適応拡大：2026年度以降								

※スケジュールにはJRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

スライド 9 ページをご覧ください。

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ました。現在、グローバルフェーズ 3 試験の投与は終了し、解析を実施中です。

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、2024 年 2 月 5 日に医薬品第二部会で承認を了承されました。

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、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。

また、2023年10月より腎症を伴わない全身性エリテマトーデスを対象としたフェーズ3試験を実施中です。

## 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI/II 準備中	PI/II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-304 (btkシグナル) (自社)	新効能	閉塞性動脈硬化症	試験終了：2024年度								
	新用量	小児肺動脈性肺高血圧症	試験終了：2025年度								
NS-580 (自社)	新成分	子宮内膜症	試験終了：2023年度								
		慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	試験終了：2024年度								
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	試験終了：2025年度								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2025年度								
NS-401 (tagraxofusp) (導入)	新成分	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度								

※スケジュールにはJRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

スライド10ページをご覧ください。

「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。

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試験を実施中です。

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。

## 研究開発の進捗状況（国内）



開発品目	申請区分	適応症等	スケジュール	PI	PI / II 準備中	PI / II	PII 準備中	PII	PIII	申請中	発売
NS-917 (radgocitabine) (導入)	新成分	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2024年度								
NS-161 (自社)	新成分	炎症性疾患	試験終了：2024年度								
NS-025 (自社)	新成分	泌尿器疾患	試験終了：2024年度								
NS-863 (自社)	新成分	循環代謝系疾患	試験終了：2024年度								

※スケジュールにはJRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

スライド 11 ページをご覧ください。

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。

炎症性疾患を対象として開発中の「NS-161」、泌尿器疾患を対象として開発中の「NS-025」、循環代謝系疾患を対象として開発中の「NS-863」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	スケジュール	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	2024年度春頃 P3データ発表予定						PIII 解析中		
CAP-1002 (提携)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	Topline data：2024年末								
NS-018 (ilglnatinib) (自社)	新成分	骨髄線維症	試験終了：2024年度（TBD）								
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	試験終了：2025年度								
NS-229 (自社)	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2025年度								
NS-050/NCNP-03 (自社)	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度								

※スケジュールにはJRCTまたはClinicalTrials.govの試験終了時期等を記載

スライド12ページをご覧ください。

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」につきましては、2020年8月に米国で販売を開始しました。現在、グローバルフェーズ3試験の投与は終了し、解析を実施中です。

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。

「NS-089／NCNP-02」、「NS-229」および「NS-050／NCNP-03」につきましては、現在グローバル試験を準備中です。

## 現在のDMD治療の考え方



- 核酸医薬（エクソンスキッピング）、細胞（エクソソーム）治療、遺伝子治療の3つの治療法については、患者さんの遺伝的背景や疾患進行度に応じて、最適な治療法が選択されと考えます。
- 2023年に遺伝子治療薬が発売された米国において、ビルテプソの売上は伸長しました。

スライド13ページをご覧ください。

最後に、DMD領域の治療に対する考え方について説明いたします。

核酸医薬、細胞治療、遺伝子治療の3つの治療法については、患者さんの遺伝的背景や疾患進行度に応じて最適な治療法が選択されと考えており、今後もそれぞれの治療法が共存していくものと考えています。

2023年に遺伝子治療が発売された米国においても、ビルテプソの売上は継続して伸長しており、第3四半期累計米国ビルテプソの売上は前年同期比31.4%増加となりました。

当社は、DMDを対象とする複数モダリティの治療薬を取りそろえることで、より多くの患者さんが最適な治療を受けられるよう取り組んでいきます。

以上、ご説明を終わらせていただきます。

2023 年度 第 3 四半期 決算説明会 Q&A (要約)

2024 年 2 月 9 日開催

NO	質問内容	回答
1	ビルテプソの P3 試験は解析中ということだが、トップラインデータはいつ頃公表される予定か。	今年の春頃を予定している。
2	2023 年 6 月に終了したビルテプソの歩行不能な患者さんを含めた試験について、学会発表は決定しているのか。	決まっている。2023 年度内にはデータを公開する予定である。
3	QonQ で米国ビルテプソの売上は 19%以上伸びている。2Q の決算説明会で期ズレが発生したという話があったが、期ズレ分については 3Q に出荷されたという認識で良いか。	その通りである。
4	米国ビルテプソ売上について、3Q は QonQ で 2Q から伸びていると思うが、3Q の数字に期末在庫や 2Q にあったような出荷の期ズレなどの特殊要因は含まれていないか。	大きな特殊要因はない。
5	昨年 11 月に下げた米国ビルテプソ売上予想に対して、3Q が QonQ で伸びたということから、4Q は QonQ でも伸びることが今の動きからも考えられるため、十分に狙えると考えているのか。	1 月の動きからいけるのではないかと考える。
6	米国ビルテプソの通期売上予想について、2Q 時までにドルベースで下方修正した。その理由は、遺伝子治療と核酸のどちらを選択するのかを医師や患者さんが悩んでいる状況にあり、新患獲得が当初想定より遅れたことであった。3Q 売上は、修正計画に対してインラインであると思う。2Q 決算説明会で説明された状況から変化はないのか、新規患者の動向にフォーカスして状況を教えてほしい。	2Q の決算説明会でご説明したのは、昨年 5 月の AdCom や P3 データが出るまでの状況であり、その期間は遺伝子治療に対する期待感が強く、医療現場や患者さんが治療法の選択を迷っていた。そのため、今年度前半は当初計画に対して患者登録数や投与患者数が弱かった。

7	データが発表された後は、核酸医薬での治療に前向きな患者さんが戻ってきており、その患者さんはまだ新規患者であるため売上に対する寄与は足元では見えてきてないものの、今後は元の軌道に戻る可能性が出てきていると考えて良いか。	その通りである。
8	ELEVIDYS の P3 結果が出たのは 10 月末頃だったが、ビルテプソの動きはその前後の 10 月と 11 月～12 月で大きな変化はあったか。	大きく変わった感じはない。
9	遺伝子治療後にエクソンスキッピングを投与できる保険があるということだが、遺伝子治療後にエクソンスキッピングを投与された患者さんはいるのか。	まだそのような患者さんはでていない。
10	ビルテプソを投与していた患者さんで遺伝子治療にスイッチした患者さんはいるか。	そのような患者さんはいない。
11	ビルテプソから遺伝子治療にスイッチしていない理由を知りたい。病態が安定しており遺伝子治療投与の必要性がないのか、遺伝子治療と年齢層が重なっておらず競合していないのかなど、背景を分かる範囲で教えてほしい。	米国でビルテプソを投与されている患者さんの年齢など詳細な情報は個人情報であるため、持ち合わせていない。ビルテプソを発売してから時間が経過しており、4、5 歳の患者さんが少ないとも想定されるが、不明である。
12	新規患者さんが遺伝子治療ではなく核酸を選ぶ理由で見えてきているものはあるのか。	遺伝子治療が迅速承認された後にビルテプソの新患獲得に目立った影響は出てないこともあり、特にない。
13	ビルテプソの新規患者は、サレプタ社からのスイッチした患者さんと核酸ナイーブの患者さんの両方か。	その通りである。
14	米国ではビルテプソの浸透率がそれなりに高くなってきているように思うが、まだ成長の余地はありそうか。	まだ 53 スキッピング薬が伸びる余地はあると考える。
15	国内のビルテプソの患者数は、中医協資料に掲載のピーク時患者数 128 名に対して、ドロップ患者も含めてどこまで達成しているのか。	中医協の資料ではピーク時患者数が 128 名だが、現在、投与中断例も含め約 100 名の患者さんに投与されている。
16	患者数は増えているのか。今後、ある程度固定された患者数になるのか。	毎年発症する患者さんもおられるため、患者数は増えていくと想定している。
17	国内ビルテプソの売上の進捗が弱く見える。2Q の決算説明会で下期の患者さんの目途はついているとコメントがあったと思うが、計画を達成できるのか。	若干想定よりも投与が遅れているが、投与候補の患者さんは確認できている状況である。

18	国内の DMD 専門医の遺伝子治療に対する考え方について情報があれば教えてほしい。	国内の専門医の遺伝子治療に対する捉え方については、遺伝子治療を絶対的に支持している医師は把握していない状況である。まだ、国内では承認されておらず、把握している限りで遺伝子治療に対して積極的にコメントを発信している医師はいないと思われる。
19	今後国内でも発売が予想される遺伝子治療を強く支持する医師がいないという状況では、CAP-1002 が新たに発売された場合、国内の浸透は難しいと考えるか。	遺伝子治療は米国において迅速承認で 4~5 歳の歩行可能な患者さんが対象である一方、CAP-1002 の対象は歩行不能な患者さんが中心になると想定されるため、治療対象が異なりすみ分け可能と考える。今後カプリコール社より P3 のトップラインデータが出てくれば、新しい治療の選択肢として国内においてもスムーズに浸透していくと期待している。
20	カプリコール社に対する出資があったと思うが、これは BS に反映されているのか。	反映している。その他の金融資産に計上されている。
21	CAP-1002 の中間解析の結果 P3 試験が継続されることが決定されたため、マイルストーンを支払うことになったと思うが、1 月以降に支払うのか。	12 月に中間解析結果が発表されたので、3Q にはキャッシュは支払っていない。BS には反映している。
22	NS-089/NCNP-02 のリクルーティングは順調なのか。また、NS-050/NCNP-03 の FPI はいつか。	NS-089/NCNP-02 は当初今年度上期に FPI の予定だったが、エントリーが想定された患者さんがスクリーニングで不適格となった。現在 9 施設がオープンしており、複数名のスクリーニング待ちの患者さんがいるので、すぐにでも FPI を期待できる状況である。NS-050/NCNP-03 は当初の想定よりも施設開設までに時間を要したこともあり、来年度の上期に FPI を想定している。
23	NS-050/NCNP-03 の FPI は来年度上期ということだが、上期は 6 カ月とレンジが広いのではないか。	候補患者さんが複数名いらっしゃるが、スクリーニングの結果次第で FPI の時期が変わるため、現時点では上期とさせていただく。
24	来年度は新しい品目の試験は開始されるのか。NS-050/NCNP-03 に続いて、NS-051/NCNP-04 も来年度の開始予定か。	NS-051/NCNP-04 も来年度の開始を想定している。
25	NS-051/NCNP-04 のジストロフィン発現量のターゲットはどれくらいか。	NS-051/NCNP-04 については、医師主導試験で 10%超のジストロフィン発現量の増加を示した NS-089/NCNP-02 並みの発現量を期待している。
26	12 月の R&D 説明会で、NS-580 の P2b 試験はエントリーを終了したという説明があったので、今年 2 月末の終了予定で良いか。	予定通りに終了すると考えている。

27	NS-580 の P2b 試験のデータが期待通りであれば、海外パートナーを探すのか。	その可能性も含めて考えたい。
28	3Q 実績の進捗について、研究開発費の進捗は順調だと思うが、費用面で未達になる部分はなさそうか。順調に進捗しているという認識か。	概ね計画通り進捗している。
29	米ドルの 3Q 累計為替レートは実績でいくらか。	実績は 1 ドル＝143.3 円である。
30	機能食品事業の売上と利益について、例年は 3Q の売上が多い傾向にある。しかし、今期は上期に比べて少ない。一方で利益は上期よりも出ている。これらの要因は何か。	原料相場が下がり、為替も円高を想定していたため、減収を見込んでいた。想定より為替が円安になったため原料価格は思っていたよりも下がっていないが、原料価格を販売価格に転嫁していることにより売上が若干下がった。しかし、原料価格の下落局面では、販売価格への転嫁には若干のタイムラグが発生するため、利益が出る傾向にある。
31	次期中期経営計画の期間は 5 年か。パテントクリフへの対応を含めて、次期中期経営計画について説明いただけるということか。	鋭意検討中ではあるが 5 年になるかと思う。また、パテントクリフへの対応も含めて説明する予定である。