

特長（独自性）のある製品とサービスの創出を通じた 人々の健康への貢献

医薬品事業：研究開発

マテリアリティと関連するSDGs

イノベーションの創出による健康未来の実現



地球環境保護への取り組み強化



社会課題の解決とコミュニティとの共生



大切にしている3つの土台

- 独自性の追求
- 新規モダリティへの継続的挑戦
- 患者さんのことを本気で考えること

世界で通用する新たな治療薬を、 必要とする患者さんに迅速に届ける

取締役 研究開発担当
高垣 和史

日本新薬は、いまだ効果的な治療薬がなかった難病・希少疾患の治療薬の研究開発に積極的に取り組むことにより、ブロックバスターに成長した肺高血圧症治療剤であるウブトラビ、国産初の核酸医薬であるデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤ビルテブソの開発に成功しました。これら成功の背景には、研究開発部門で大切にしてきた3つのこと、すなわち1) 研究開発の独自性の追求、2) 新たなモダリティへの継続的な挑戦、および3) 患者さんのことを本気で考えること、があります。これら3つを土台として研究開発を続けてきた結果、難しいとされてきた難病・希少疾患の新たな治療薬の開発という、高くて困難な壁を乗り越えられたと考えています。

これからも、これら3つを研究開発の土台に置くことに変わりはありませんが、病気で苦しんでいる患者さんに画期的な新薬を一刻も早く届けるためには、研究開発のスピードアップは必要不可欠です。研究開発体制とその仕組みに関して、資源配分の適正化、プロジェクトの合理的な優先順位付け、AIやITを利用した研究開発の効率化に取り組みます。これにより、開発スピードと成功確率を向上させ、さらにオープンイノベーションにより新規技術／優れた技術を外部から積極的に導入することで、日本新薬ならではの製品の早期上市を実現します。

第六次5ヵ年中期経営計画の総括と、 残された課題

第六次5ヵ年中期経営計画では、「世界のヘルスケア分野で存在意義のある会社」として、世界における存在意義を高めることを目指し、研究開発本部として、「研究開発を通じた新しい価値の創造」に挑戦してきました。

第六次中期経営計画の最終年度の2023年度は、2品目の製造販売承認を取得しました。ジャズ・ファーマシューティカルズ社より導入した高リスク急性骨髄性白血病治療剤ビキセオス（開発記号：NS-87）は、国内でフェーズ1/2試験を実施、2023年6月に承認申請し、2024年3月に承認を取得しました。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独占的販売契約を締結したフィンテブラ（開発記号：ZX008）は、ユーシービージャパン社が2024年3月にレノックス・ガストー症候群の効能追加の承認を取得しました。フィンテブラについては開発段階にも進展があり、2023年7月よりCDKL5欠損症を対象としたフェーズ3試験を開始しました。循環代謝系疾患を対象として開発中のNS-863は、2023年8月よりフェーズ1試験を開始しました。ヒト化抗CD20モノクローナル抗体ガザイバ（開発記号：GA101）は、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試験を開始しました。

5年間の取り組みを通じ、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤ビルテブソ（開発記号：NS-065/NCNP-01）、肝類洞閉塞症候群治療剤デファイテリオ（開発記号：NS-73）、鉄欠乏性貧血治療剤モノヴァー（開発記号：NS-32）、フィンテブラの4品目を上市しました。また、肺動脈性肺高血圧症治療剤ウブトラビ（開発記号：NS-304）に慢性血栓塞栓性肺高血圧症の効能を追加、骨髄異形成症候群治療剤ビダークザに急性骨髄性白血病の適応拡大を行い、計6品目の上市を達成することで、目標としていた年平均1品目以上の新製品の上市を達成することができました。一方で、NS-018の開発中止があり、NS-089/NCNP-02、NS-304の閉塞性動脈硬化症への適応拡大といった、中期経営計画期間中の発売を目指していた

品目の開発に遅延が生じ、臨床開発のスピードに課題を残すこととなりました。また、次世代核酸や遺伝子治療などの新規モダリティへの取り組みについても、候補品の創製に想定以上に時間を要しました。

第七次5ヵ年中期経営計画の達成に向けた 戦略と注力する取り組み

第七次5ヵ年中期経営計画では、重点テーマとして「ウブトラビに替わる成長ドライバーの育成」「継続的なパイプラインの拡充」を掲げました。第七次中期経営計画期間中の成長ドライバーとして、DMD治療薬4品目、血液がん治療薬3品目、ウブトラビ、フィンテブラ、ガザイバの適応拡大による年平均2品目以上の新製品を上市します。加えて、新たに獲得した導入品にも注力し、上市品目数をさらに拡大していきます。

また、自社創薬・導入・PLCMの3本柱を軸に、継続的にパイプラインを拡充していきます。自社創薬については、オープンイノベーションやAI創薬を活用し、自社の強みと他社の技術を組み合わせて強化していきます。核酸医薬品では、DMDに加え中枢神経系領域の創薬にも取り組むとともに、オープンイノベーションを通じた新規核酸創薬モダリティの活用を推進していきます。導入については、グローバルでの販売につながる品目を優先し、年1品目以上の導入品獲得に向けて取り組みます。PLCMについては、第二適応疾患に対する取り組みをこれまでよりも早期から開始し、医薬品の価値最大化に向けて取り組みます。

第七次中期経営計画では「経営基盤の強化」の一つとして「研究開発のスピードアップ」を掲げました。臨床開発では、第六次中期経営計画期間に複数の臨床試験が遅延しましたが、その課題解決のため、経営全体での厳格な進捗確認、各国の規制当局対応の強化、プロジェクトマネジメント強化、頑健性のある試験計画の立案、迅速承認の可能性の追求などにより、成功確率の向上とスピードアップを図ります。創薬研究については、テーマの起案から臨床入りまでの期間の短縮

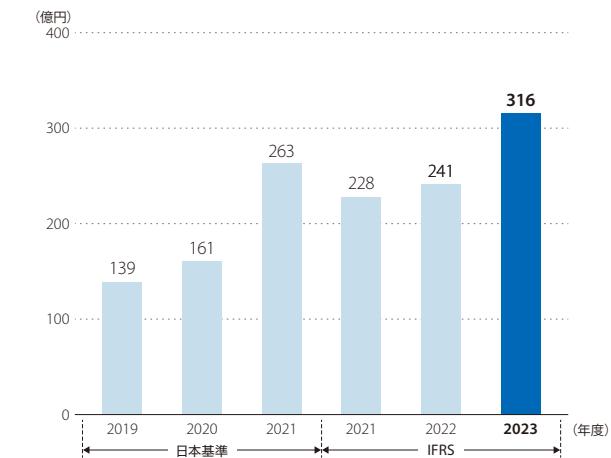
特長（独自性）のある製品とサービスの創出を通じた人々の健康への貢献

医薬品事業：研究開発

と、自社品の年1品目上市が可能な体制の構築を目指します。また、経営基盤の強化「サステナブルな成長に向けた財務戦略」として、研究開発費は5年間で1,900億円、創薬研究所における新しい技術への対応とイノベーション創出に向けた新

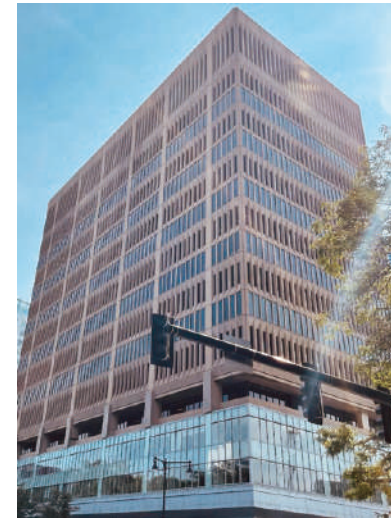
研究棟の建設など、設備投資は総額380億円を考えています。マテリアリティに掲げた「イノベーションの創出による健康未来の実現」を目指し、第七次中期経営計画に則り、研究開発本部が一丸となって取り組んでいきます。

研究開発費の推移



世界最先端の創薬技術のシーズへのアクセス

米国東海岸のマサチューセッツ州のケンブリッジ周辺は、ハーバード大学やマサチューセッツ工科大学といった世界をリードするアカデミアとその系列病院が数多く存在しています。また多くのスタートアップやバイオテック企業もここに集積し、同地区はイノベーション創出のホットスポットとなっています。ここにInnovation Research Partnering (IRP)を開設し、世界最先端の創薬技術シーズへの早い段階でのアクセスおよびワールドクラスの科学者との共創の機会を増やすことで、情報収集・探索活動を効率よく行い、革新的な技術・早期品目の導入につなげていきます。



IRPが入ったビル

特長的な技術シーズを有するアカデミアやベンチャー企業等と提携し、開発品のパイプラインの重層化のみならず、日本新薬が強みを有する技術と最先端技術を融合した、新たな治療技術の創出を目指します。未だ有効な治療薬が存在しない難病・希少疾患の治療薬開発、新たな疾病領域での創薬において、新規治療技術の開発は重要な要素の一つであることから、パートナーリング機会の増加は、自社創薬に多様性をもたらすと考えています。

アニマルウェルフェアへの配慮

医薬品の安全性や有効性を確認するためには動物を用いた研究が不可欠です。日本新薬では、関連する法令や指針・ガイドラインに沿って動物実験に関する社内規程を定め、「動物実験委員会」を設置しています。そして、すべての動物実験が3Rs(Replacement(代替)、Reduction(削減)、Refinement(改善))の原則に基づき、適切な配慮のもとで実施されることを審査しています。動物実験の実施体制については、定期的な自己点検を通じて関連する法令等に適合していることを確認するとともに、第三者機関である一般財団法人日本医薬情報センター(JAPIC)の認証を受けています。動物の飼育環境を最適化し、ストレスを軽減することに加え、動物実験関係者に対しては、定期的に行う研修の中でアニマルウェルフェア(動物福祉)に関する教育を実施しています。

パートナーリング機会の強化と自社創薬の多様化

前臨床段階またはそれ以前にある技術・開発化合物については、IRPと本社モダリティ戦略課が、臨床段階にありProof of Concept (POC)が確認できている開発化合物については、米国ニュージャージーに拠点を置くNS Pharmaと本社ライセンス部が、パートナーリング機能を担っています。このように、開発段階別・地域別に分担することは、効率的なスカウティング活動を可能とし、パートナーリング機会の増加につながっています。

NIPPON SHINYAKU PEOPLE

チームとしてより多くの患者さんに薬剤を届ける

私は、2021年4月からNS-87(ビキセオス：高リスクAML治療剤)等の血液がん治療剤のプロジェクトマネージャーをしていました。プロジェクトマネージャーの主な仕事は、開発の推進と上市後も見据えた製品価値最大化を行うことです。一日でも早く、そして一人でも多くの患者さんに薬剤を届けるために、何ができるのかを常に考えて業務に取り組んできました。プロジェクトチームが一丸となって2024年3月にNS-87の製造販売承認を取得できたこと、当局との協議を経て薬剤を投与できる患者さんの幅を広げ、より多くの患者さんに薬剤を届けることができたこと、また別の血液がん治療剤では開発期間を1年以上短縮できたことが印象に残っています。

研開企画部 企画推進一課(現 ライセンス部 企画二課) 赤木 理代



ペイシェント・セントリシティに基づく創薬研究の推進

2035年の長期目標として「ペイシェント・セントリシティに基づいた創薬研究テーマが掲げられ、上市を目指した研究開発活動が推進されている」という状況の実現に向けて活動しています。2023年度は、創薬研究者が患者さんもしくは患者さんに近い立場の方と接する機会を増やすことを目標に取り組みました。具体的な取り組みを2つ紹介します。1つ目の取り組みとして、患者さんやそのご家族に当社向けの動画メッセージを作成していただき、研究開発本部の社員全員で視聴を行いました。動画を視聴した社員からは、「製薬会社の社員としてできることは何か改めて考えるきっかけになった」「私たちの仕事は、その先の患者さんの人生や生活に影響を与えていることが実感できた」などの声が挙がりました。2つ目の取り組みとして、10月に、一般社団法人ピーベック(PPeCC)代表理事の宿野部武志氏に「病気をもつ人の“こえ”を聴く意義について」のタイトルで社員向けにご講演いただき、約330名の社員が聴講しました。講演会を聴講した社員からは、「病気を持つ人の“こえ”を直接聞くことは難しいと考えていたが、それが可能であるということを確認できた」「希望をもってこれからどう暮らしていくかをともに考えていくことが重要であると感じた」「どのように各部門の業務に落とし込めるかが大事で、創薬研究者が病気を持つ人から直接ヒアリングする機会が増えれば良いと思う」などの意見が出ました。日本新薬では、患者さんやそのご家族から直接お話を聞く機会はこれまであまり多くはありませんでした。今回の活動を通じて、直接お話を伺う機会を増やして患者さんを知ることが大切であると、改めて認識しました。

2035年の「ありたい姿」に向けては、単に患者さんや患者さんに近い立場の方と接する機会を設けるだけでなく、患者さんとともに創薬の実現を目指すことが大切だと考えており、今後も体制整備に取り組んでいきます。



特長 (独自性) のある製品とサービスの創出を通じた人々の健康への貢献

医薬品事業：研究開発

パイプライン (2024年8月7日現在)

国内

開発記号 (一般名)	領域分類	適応	オリジン	開発	フェーズ						申請中	発売
					I	I/II 準備中	I/II	II 準備中	II	III		
NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
LY3527727 (ビルトブルチニブ)	血液がん	マントル細胞リンパ腫*	アライアンス：日本イーライリリー株式会社	日本イーライリリー株式会社								準備中
NS-304 (セレキシバグ)	難病・希少疾患	小児肺動脈性肺高血圧症	自社	共同：ヤンセンファーマ株式会社								
ZX008 (フェンフルラン塩酸塩)	難病・希少疾患	CDKL5欠損症	販売提携：ユーシービー社 (旧ソジェニックス社)	ユーシービー社 (旧ソジェニックス社)								
GA101 (オピズツマブ)	難病・希少疾患	ループス腎炎	導入：中外製薬株式会社	共同：中外製薬株式会社								
GA101 (オピズツマブ)	難病・希少疾患	小児特発性ネフローゼ症候群	導入：中外製薬株式会社	共同：中外製薬株式会社								
GA101 (オピズツマブ)	難病・希少疾患	腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	導入：中外製薬株式会社	共同：中外製薬株式会社								
LY3527727 (ビルトブルチニブ)	血液がん	マントル細胞リンパ腫	アライアンス：日本イーライリリー株式会社	日本イーライリリー株式会社								
LY3527727 (ビルトブルチニブ)	血液がん	慢性リンパ性白血病	アライアンス：日本イーライリリー株式会社	日本イーライリリー株式会社								
NS-304 (セレキシバグ)	循環代謝系	閉塞性動脈硬化症	自社	自社								
NS-580	婦人科疾患	子宮内膜症	自社	自社								
NS-580	泌尿器疾患	慢性前立腺炎／慢性骨盤痛症候群	自社	自社								
NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
NS-229	難病・希少疾患	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	自社	自社								
NS-401 (tagraxofusp)	血液がん	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	導入：メナリーニ社	自社								
NS-050/NCNP-03	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
NS-917 (radgocitabine)	血液がん	再発・難治性急性骨髄性白血病	導入：デルタフライファーマ株式会社	自社								
NS-025	泌尿器疾患	泌尿器疾患	自社	自社								
NS-863	循環代謝系	循環代謝系疾患	自社	自社								

*ほかのBTK阻害剤に抵抗性または不耐容の再発または難治性のマントル細胞リンパ腫

海外

開発記号 (一般名)	領域分類	適応	オリジン	開発	フェーズ						申請中	発売
					I	I/II 準備中	I/II	II 準備中	II	III		
NS-065/NCNP-01 (米国) (ビルトラルセン)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
NS-065/NCNP-01 (グローバル) (ビルトラルセン)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
CAP-1002 (deramioceI)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	提携：カプリコール・セラビューティクス社	カプリコール・セラビューティクス社								
NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								
NS-229	難病・希少疾患	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	自社	自社								
NS-050/NCNP-03	難病・希少疾患	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	共同：国立精神・神経医療研究センター	自社								

知的財産

日本新薬グループでは、経営理念である「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」の実現に向けて、新たな創薬モダリティへの挑戦やグローバル化を掲げています。知的財産は、これらを推進する上で重要な役割を担うことを認識し、その保護と活用を通じて自社事業の優位性を強化し、継続的な企業価値向上を図ります。また、第三者の知的財産権を尊重することを基本姿勢としており、権利調査等の知的財産リスク管理を徹底しています。

研究開発活動と知的財産

研究の早期の段階から知的財産部と研究開発部門が連携し、自社で創製される医薬品や機能食品を、物質特許のみならず、用途特許、製法特許、製剤特許、用法用量特許等で長期にわたり多面的かつ戦略的に保護しています。また、複数の部門長から構成される社内委員会において、自社および他社の研究開発戦略や事業戦略を踏まえた特許の出願・維持方針の決定を含む、グローバルな研究開発戦略や事業戦略を強固にするための特許ポートフォリオの構築とその活用を検討しています。

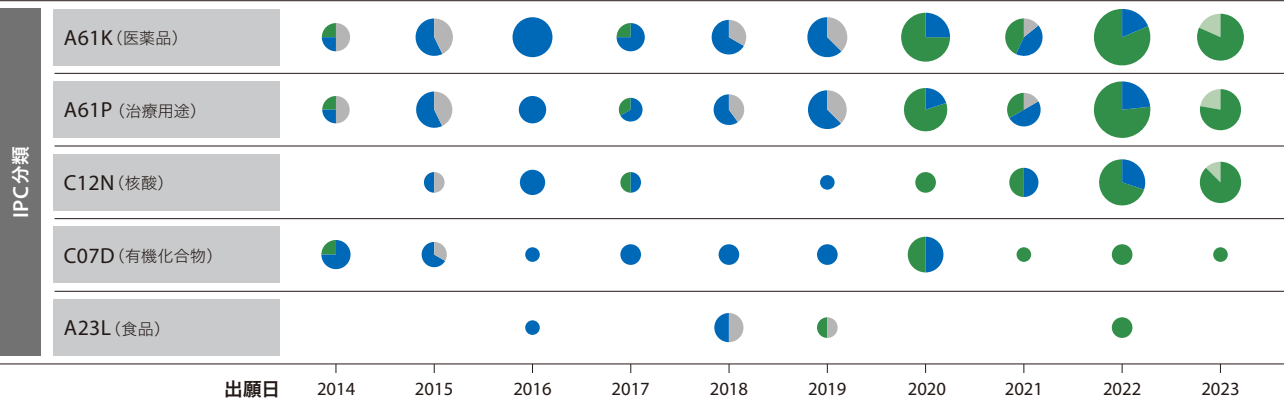
知的財産の把握と分析

第三者の知的財産権を尊重する基本姿勢に基づき、自社製品に関する第三者の権利調査等を定期的を実施しています。また、中・長期的に自社に重要になると想定される特定の技術分野を中心に、特許動向調査や競合企業の知的財産分析を行い、早期の知的財産リスク管理を行うとともに、得られた分析結果を研究開発戦略や事業戦略に活用しています。さらに、自社製品とその周辺を保護する知的財産の分析を行い、戦略的ライセンスを含む権利活用をすることにより、自社研究開発や事業拡大等の機会創出を図っています。

商標による信用・ブランド構築

自社で創製される医薬品や機能食品に応じた適切な商品名を決定し、それらを商標権で保護することにより、信用・ブランド構築を図っています。

国際特許分類 (IPC) 別の出願動向 (上位5分類)



無効：すでに権利が満了になっている、または放棄された特許、特許 (権利化) に至らなかった出願 (審査での拒絶、出願人の放棄等)
有効：特許登録され、権利が有効に発生している特許
審査係属中：各国特許庁で審査中の特許出願
PCT国際段階：PCT (特許協力条約) に基づく国際出願がされたが、まだ各国特許庁で審査が始まっていない段階の特許出願
*PatSnap Analyticsを用い、日本新薬が独自に分析・編集