

イノベーションの創出による健康未来の実現

医薬品事業



患者さんのことを
本気で考えた研究開発を
推し進めています。

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

日本新薬は、これまでに構築してきた研究開発基盤を礎として、「難病・希少疾患」「血液内科」「泌尿器科・婦人科」を注力領域としています。中でも「難病・希少疾患」を中核領域と位置づけ、低分子・核酸・遺伝子治療の3つのモダリティから最適なモダリティを選択し、疾患、作用機序およびモダリティの組み合わせによる独自性の高い研究開発に取り組んでいます。

私たちは、患者さんやご家族のお困りごとや想いに真摯に耳を傾け、その声を創薬の初期段

階からライフサイクルマネジメントに至るまで一貫して取り入れることを重視しています。治療選択肢が限られている疾患に対し、真に求められる価値を患者さん、ご家族そして患者団体の皆さまとともに考え、一人ひとりのより良い未来につながる医療の実現を目指します。

また、新たな治療選択肢を一日でも早く患者さんにお届けするため、開発スピードの向上を目指し、プロジェクトマネジメントのさらなる高度化や開発期間の短縮などにも取り組んでいます。

今後も、外部連携や新規シーズ導入を積極的に進めて研究開発基盤を一層強化し、継続的なパイプライン拡充と競争力の向上を図ります。これにより、私たちは、アンメットメディカルニーズに応える革新的な医薬品の創出を果たし、2035年のありたい姿「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」の実現に向けて貢献してまいります。

日本新薬の注力領域



難病・
希少疾患



血液内科



泌尿器科・
婦人科

■ 難病・希少疾患への注力

難病・希少疾患には、いまだ有効な治療法が十分に確立されていないものも多く、患者さんやご家族が日々直面する課題は極めて切実なものです。そのような患者さんに新たな治療選択肢をお届けすることは私たちの使命と考えており、この領域への注力をさらに強化してまいり所存です。

当社は、これまでに積み重ねてきた研究開発の経験と基盤を生かし、この領域において新たな治療の可能性を切り拓いてきました。その結果、当社の全開発品のうち、難病・希少疾患を対象とした治療薬は約87.5%を占めるに至っています。これは国内外の製薬企業と比較しても相当に高い注力度を示しています。

創薬戦略の観点からも、本領域への注力は重要です。希少疾患は、他の疾患領域と比べて開発成功

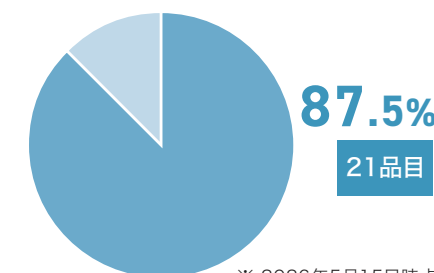
確率が相対的に高いことが報告されており、要件次第では迅速承認取得が期待されるなど、新しい治療を早期に届けるための制度的な後押しも得られる領域です。

難病・希少疾患の研究開発においては、疾患ごとに異なる病態や患者背景を適切に把握し、それそれに応じた研究開発戦略を講じることが重要です。

当社は、社内外の知見を活用しながら、一つひとつの疾患に適した戦略を策定し、研究開発の成功に邁進します。

パイプラインに占める難病・希少疾患比率

国内／グローバル



※ 2026年5月15日時点

マテリアリティと関連するSDGs

地球環境保護への取り組み強化



イノベーションの創出による健康未来の実現

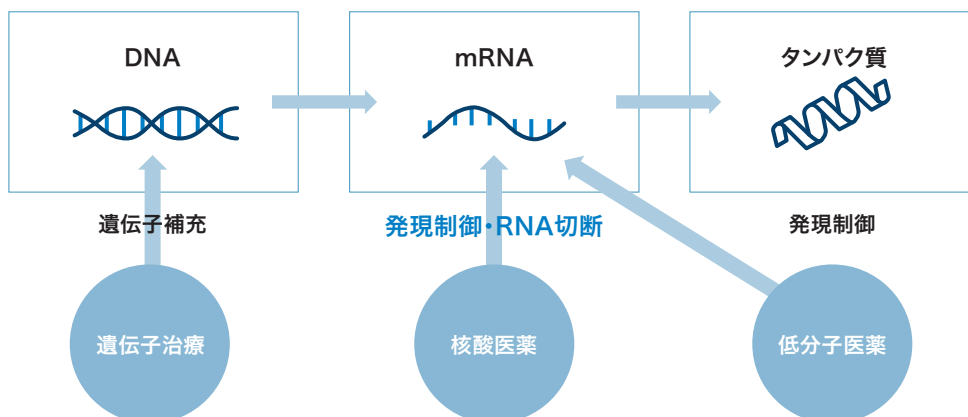


イノベーションの創出による健康未来の実現

モダリティ技術

難病・希少疾患においては、遺伝性疾患が占める割合が高いという特性を踏まえ、当社は病因遺伝子、またはその発現制御経路に作用し得る「低分子」「核酸」「遺伝子治療」の3つを注力すべきモダリティと位置付けています。疾患特性や作用機序に応じて最適なモダリティを選択することで、独自性の高い創薬を推進し、競争優位性の確立を図っています。

モダリティの機序



低分子

モダリティの多様化が進展する中においても、低分子医薬品は依然として開発品の中で最多を占めるモダリティです。従来は創薬が困難とされてきた標的に対しても、AI技術やタンパク質立体構造解析技術の進展などにより、低分子医薬品によるアプローチが可能になってきました。当社の低分子創薬は、化合物最適化技術を強みとしており、肺動脈性肺高血圧症治療剤「ウプトラビ」の創出に加え、複数の自社創製品を臨床試験段階へ進展させてきました。

今後は、この強みをさらに発展させるとともに、RNA標的的低分子や環状ペプチドなどの新規技術も活用して創薬の幅を広げ、継続的な新薬の創出を目指します。

核酸

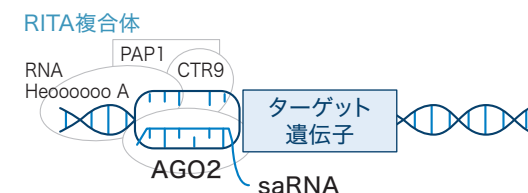
核酸医薬品は、標的遺伝子に直接作用し得る点が優れている一方、特許競争が激化していることから、知的財産戦略は極めて重要なモダリティです。また、低分子医薬品と比較して組織移行性に課題があることから、疾患特性や標的組織に応じたDDS技術の活用が不可欠です。

当社は、遺伝子発現を上昇させる核酸医薬品など、特許優位性の高い独自技術の創出に注力し、遺伝子機能の喪失を原因とする疾患に対して、継続的な医薬品創出に取り組んでいます。特に中枢神経系領域においては、局所投与型製剤に加え、DDS技術を活用した低侵襲な静脈内投与型製剤の開発にも注力し、患者さんの治療負担軽減を目指しています。

発現増強核酸 saRNA

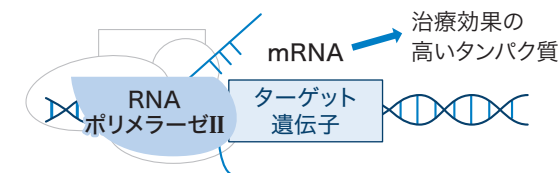
Step 01 |

RNAによる
遺伝子活性化複合体の形成



Step 02 |

RNAポリメラーゼIIによる
転写亢進とタンパク質産生



遺伝子治療

遺伝子治療は、疾患の原因となる遺伝子の欠損に対して、当該遺伝子を補充することから、より高い治療効果が期待できるモダリティです。難病・希少疾患には遺伝性の疾患が多いことから、本モダリティでの治療は理に合っています。しかしながら、現在の遺伝子治療では、投与回数の制限や搭載遺伝子の制約など、さまざまな課題が存在します。当社は、これらの課題を克服する新たな技術の構築に取り組み、次世代の遺伝子治療の実現を目指しています。

イノベーションの創出による健康未来の実現

日本新薬では、難病・希少疾患を中心に、3つのモダリティを活用したパイプラインの拡充を進めています。

開発パイプライン

(2026年5月15日現在)

グローバル開発品目

★オーファンドラッグ指定(日または米)

●希少小児疾患指定(米)

*2020年より日米で発売開始

	Phase1	Phase2	Phase3	申請
 難病・希少疾患	●NS-050/NCNP-03 デュシェンヌ型筋ジストロフィー ★●ATSN-101 GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障 ★●RGX-111 ムコ多糖症Ⅰ型	★●NS-089/NCNP-02 デュシェンヌ型筋ジストロフィー ★NS-229 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症 ★NS-035 Phase2準備中 福山型先天性筋ジストロフィー	★NS-065/NCNP-01* デュシェンヌ型筋ジストロフィー ★●CAP-1002 デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症 ★●CAP-1002 デュシェンヌ型筋ジストロフィー ★ZX008 CDKL5欠損症 ★GA101 ループス腎炎 腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	★●CAP-1002 デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症 ★●RGX-121 ムコ多糖症Ⅱ型 - GA101 特発性ネフローゼ症候群
 血液がん	NS-917 再発・難治性急性骨髄性白血病	★LY3527727 - マントル細胞リンパ腫 - 慢性リンパ性白血病		
 泌尿器 婦人科	NS-025 泌尿器疾患	NS-580 - 慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群 - 子宮内膜症		
 循環代謝系 その他	NS-245 炎症性疾患	NS-863 Phase2準備中 肺動脈性肺高血圧症 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症	NS-304 閉塞性動脈硬化症	

パイプラインの拡充に向けた取り組み



当社は、難病・希少疾患領域を中心とする注力分野において、持続的なパイプライン拡充を推進しています。低分子医薬においては、当社が強みとする化合物最適化技術を生かし、疾患メカニズムに基づく分子標的薬の創出に取り組んでいます。好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤「NS-229」は現在グローバルで第二相臨床試験を実施中であり、加えて肺動脈性肺高血圧症および間質性肺疾患に伴う肺高血圧症治療剤「NS-863」についても第二相臨床試験の準備を進めています。

核酸医薬分野では、遺伝子レベルの異常を直接標的とする特性を生かし、デュシェンヌ型筋ジストロフィーをはじめとする、有効な治療法が限られた希少疾患を対象に研究開発を拡大しています。日本人に特に多い遺伝性疾患である福山型先天性筋ジストロフィーに対し、初の治療剤となる「NS-035」についても、第二相臨床試験の準備を進めています。遺伝子治療については、遺伝性網膜疾患であるレーバー先天性黒内障を対象とした「ATSN-101」を導入し、新たな治療選択肢の確立を目指しています。このように3つのモダリティを戦略的に活用するとともに、外部連携や基盤技術の強化を組み合わせることで、多様性のあるパイプラインを構築します。

イノベーションの創出による健康未来の実現

スピードアップを可能にする研究開発体制

第七次中期経営計画のもと、研究開発のスピードアップに向け、創薬から申請・承認までを俯瞰して推進する体制を強化しています。創薬プロセスの最適化と進捗管理を担う創薬戦略部に、AI活用およびDX推進を統括する新組織を設置しました。臨床開発においては、グローバル開発推進部が日米拠点一体での開発計画立案と厳密な進捗管理を進めています。さらに、日米臨床開発部門の統合により、開発戦略の一体化と効率的な業務推進を実現します。一日でも早く患者さんに医薬品を届けるために、今後さらなるスピードアップを図っていきます。

創薬戦略部

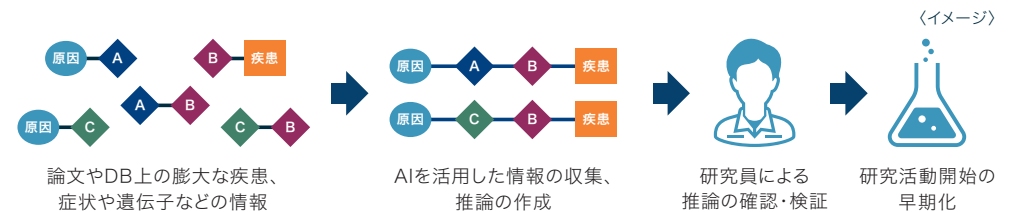
創薬研究では、研究テーマの起案から臨床試験開始までの期間短縮と、年1品目以上の自社創製品上市を実現し得る研究体制の構築に取り組んでいます。2023年に設置した創薬戦略部は、創薬研究を俯瞰的にマネジメントし、変革を推進しています。2026年に、同部内に新たに創薬研究におけるAI活用およびDX推進を統括する組織を設置しました。創薬プロセスの最適化、標準スケジュールに基づく進捗管理の徹底およびAI/DXの実装を通じて、創薬研究のスピードアップと成功確率の向上を目指しています。

グローバル開発推進部

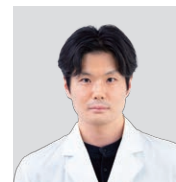
米国を中心としたグローバル開発の重要性が高まる一方、各国審査当局との調整や施設開設準備に時間を要し、試験開始が当初の計画よりも遅れるといった課題がありました。このような課題を解決し、医薬品を世界中の患者さんへ迅速に届けることを目的に、2025年よりグローバル開発に特化したマネジメント部門としてグローバル開発推進部を設置しました。これにより、当社日米拠点一体での開発計画立案および厳密な進捗管理が可能となり、グローバル開発全体のスピードアップを着実に推進しています。

AIを活用した効率的な研究開発

研究テーマの提案を支援するAIエージェントを構築し、創薬テーマ提案の効率化および高質化を図っています。また、ヒット化合物やリード化合物の探索、ならびに安全性評価など、それぞれの課題に適したAIの活用を進めています。例えば、目標とする化合物を得る手段として、これまでは化合物を合成してスクリーニングを行うという実験のみに頼っていましたが、AIを活用することで合成すべき化合物の数を絞り、検討期間も短縮できるようになりました。さらに、創薬研究におけるAI活用を一層推進するため、データを適切に管理する意識の向上を図るとともに、研究者がAIを利用しやすい環境の整備にも取り組んでいます。



VOICE



生物研究部
生物研究一課

山本 格

すべての研究員がアイデアの創出に挑戦する全員起案

創薬研究は研究員の強い想いだけで成功するほど容易ではありません。近年は疾患領域やモダリティの選択が多様化し、グローバル開発を見据えた戦略を起案段階から具体的に描く必要があります。研究員の熱意と求められる創薬の質を両立させ、体系的にテーマ起案へとつなげる、研究員による「全員起案」が仕組み化され、定着しています。研究員から提案されるアイデアは職制上位者からのフィードバックにより、課題の洗い出しが徹底され、このプロセスを経た有望なアイデアは迅速にテーマ起案へと進みます。

研究員の想いが、全員起案を通じて戦略性の高いテーマとして形となり、患者さんに貢献しうる医薬品の創出に向けた研究にやりがいを感じています。

イノベーションの創出による健康未来の実現

■ オープンイノベーション

当社は、オープンイノベーションを、創薬の競争力を高める戦略的手段と位置付けています。創薬戦略に基づき外部技術を見極め、各疾患領域における自社の知識や創薬ノウハウと融合させることで、独自性の高い研究テーマの創出と開発パイプラインの拡充を目指しています。

進行中のオープンイノベーション

軸	内容	協業・提携先
創薬	神経領域の革新的な治療薬の開発	ボストン小児病院
標的	RNA構造を標的とする新規医薬品の創出	xFOREST Therapeutics社
モダリティ	核酸医薬の創製(中枢神経疾患領域)	MiNA Therapeutics社
基盤技術	AI技術を活用した研究開発	FRONTEO社

PICK UP

ボストン小児病院との戦略的提携

当社は2025年にボストン小児病院(BCH)との戦略的提携を結び、難病・希少疾患領域におけるグローバルな価値創出に取り組んでいます。本提携では、当社が設定した研究課題に基づき、BCHの研究者から研究提案を募集し、社内選抜プロセスを通じて共同研究テーマを選定しました。その後、研究代表者と協働して研究内容を具体化し、2026年6月より共同研究を開始しています。当社の研究員も現地にて研究に参画しており、人材交流を通じて相互理解を深めながら、患者ニーズを起点とした研究活動を推進しています。

これらの取り組みを進め、難病・希少疾患に関する医薬品ラインアップの拡充と、持続的な企業価値の向上を目指しています。

■ 知的財産

当社グループでは、経営理念の実現に向けて、新たな創薬モダリティへの挑戦や事業のグローバル展開を重要な経営課題と位置付けています。その中で知的財産は、研究開発によって創出される価値を確実に事業競争力へつなぐための重要な役割を担うものと認識しています。

当社は、知的財産の的確な保護と戦略的な活用を通じて自社事業の優位性を強化するとともに、研究成果の最大化を図り、継続的な企業価値の向上に取り組んでいます。また、第三者の権利調査やクリアランス確認を含む知的財産リスク管理を徹底し、国内外における法的リスクの低減と、安定的な事業運営の確保にも努めています。

研究開発活動と知的財産

研究開発の早期段階から知的財産部と研究開発部門が密接に連携し、研究テーマの選定を含む上流工程から知的財産を意識した活動を行っています。自社で創製される医薬品や機能食品については、複数の特許などにより多面的かつ重層的な権利化を図っています。これにより、製品ライフサイクル全体を見据えた競争優位性の確保と維持を目指しています。

さらに、社内委員会において、グローバルな研究開発戦略および事業戦略と整合した特許ポートフォリオの構築、維持および活用について継続的に検討しています。

知的財産の把握と分析

中長期的に重要となる技術分野を中心に、特許動向調査や主要プレイヤーの知的財産分析を体系的に実施しています。これにより、研究開発段階における潜在的な知的財産リスクの早期把握と回避を図るとともに、研究テーマの差別化や開発優先順位の検討など、研究開発戦略および事業戦略の立案に活用しています。

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の製品名に対しては、国内外において商標権による適切な保護を行っています。これにより、製品の識別性を高めるとともに、医療関係者や消費者からの長期的な信頼の醸成とブランド価値の向上に取り組んでいます。

また、商標管理を通じて模倣や混同の防止を図り、安定した事業基盤の構築に寄与しています。