



日本新薬

日本新薬株式会社

2025 年度第 2 四半期決算説明会

2025 年 11 月 14 日

イベント概要

[企業名] 日本新薬株式会社

[企業 ID] 4516

[イベント言語] JPN

[イベント種類] 決算説明会

[イベント名] 2025 年度第 2 四半期決算説明会

[日程] 2025 年 11 月 14 日

[登壇者] 6 名

代表取締役社長	中井 亨 (以下、中井)
取締役 経営企画・サステナビリティ担当	枝光 平憲 (以下、枝光)
取締役 営業担当	岩田 和行 (以下、岩田)
取締役 研究開発担当	桑野 敬市 (以下、桑野)
執行役員 研究開発本部 研開企画統括部長	別府 学 (以下、別府)
執行役員 経営企画部長	武智 秀泰 (以下、武智)

登壇

武智：それでは定刻となりましたので、日本新薬株式会社 2025 年度第 2 四半期決算説明会を開催いたします。開催に先立ちまして、本日の出席者をご紹介します。

皆様から向かって左側より代表取締役社長の中井でございます。取締役 研究開発担当の桑野でございます。取締役 営業担当の岩田でございます。取締役 経営企画・サステナビリティ担当の枝光でございます。事務局には研開企画統括部の別府、司会をつとめます経営企画の武智でございます。本日はどうぞよろしくお願いいたします。

なお、本説明会の内容は、オンデマンド動画配信およびトランスクリプトとして弊社ウェブサイトに掲載いたしますので、発表終了後の質疑につきましては、その点ご了承のうえでご発言いただきますようよろしくお願いいたします。

それでは中井さんよろしくお願いいたします。

中井：日本新薬社長の中井亨でございます。本日はお忙しい中、当社の 2025 年度第 2 四半期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。

本日は、私から、2025 年度第 2 四半期の業績と 2025 年度の業績見通しに加え、CAP-1002（deramiocel）のアップデートや米国における販売準備の状況についてお話しさせていただきます。

その後、研究開発品目の進捗状況につきましては、研究開発担当の桑野から説明させていただきます。

それでは、2025 年度第 2 四半期の業績と 2025 年度の業績見通しについて説明させていただきます。

ポイント

2025年度 第2四半期の業績

売上収益：3期連続 増収（医薬品・機能食品事業ともに増収）

営業利益：増益（増収、研究開発費、為替差損の減少）

2025年度の業績見通し

売上収益：20億円上方修正

営業利益：30億円上方修正（増収、販管費、研究開発費、為替差損の減少）

まず始めに、本日の決算説明会のポイントをお伝えさせていただきます。

2025 年度第 2 四半期の業績は、医薬品・機能食品事業が共に増収となり、3 期連続で増収となりました。営業利益は、増収に加え研究開発費や為替差損の減少により増益となりました。

2025 年度の業績見通しについては売上収益を 20 億円上方修正し、費用の減少や為替差損の減少により営業利益を 30 億円上方修正しております。

2025年度 Q2（4-9月）概要

- ・ 医薬品・機能食品事業が共に増収、3期連続の増収
- ・ 営業利益は増益、一方で最終利益は減益

（百万円）	2024年度Q2（4-9月）		2025年度Q2（4-9月）		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	79,332	100.0%	79,647	100.0%	+315	+0.4%
（医薬品）	(68,496)	(86.3%)	(68,561)	(86.1%)	(+64)	(+0.1%)
（機能食品）	(10,836)	(13.7%)	(11,086)	(13.9%)	(+250)	(+2.3%)
売上原価	24,935	31.4%	25,336	31.8%	+400	+1.6%
販売費及び一般管理費	18,031	22.7%	20,357	25.6%	+2,325	+12.9%
研究開発費	16,732	21.1%	14,637	18.4%	-2,095	-12.5%
その他の収益	455	0.6%	521	0.7%	+66	+14.7%
（為替差益）	-	-	(153)	(0.2%)	(+153)	-
その他の費用	2,219	2.9%	258	0.3%	-1,960	-88.3%
（為替差損）	(1,935)	(2.4%)	-	-	(-1,935)	-
営業利益	17,867	22.5%	19,580	24.6%	+1,712	+9.6%
金融収益	396	0.5%	550	0.7%	+153	+38.8%
金融費用	65	0.1%	101	0.2%	+35	+54.4%
税引前中間利益	18,198	22.9%	20,029	25.1%	+1,830	+10.1%
法人所得税費用等	1,825	2.3%	4,268	5.3%	+2,442	+133.8%
親会社の所有者に帰属する中間利益	16,373	20.6%	15,760	19.8%	-612	-3.7%

それでは、ここから詳しく説明させていただきます。スライド5ページをご覧ください。

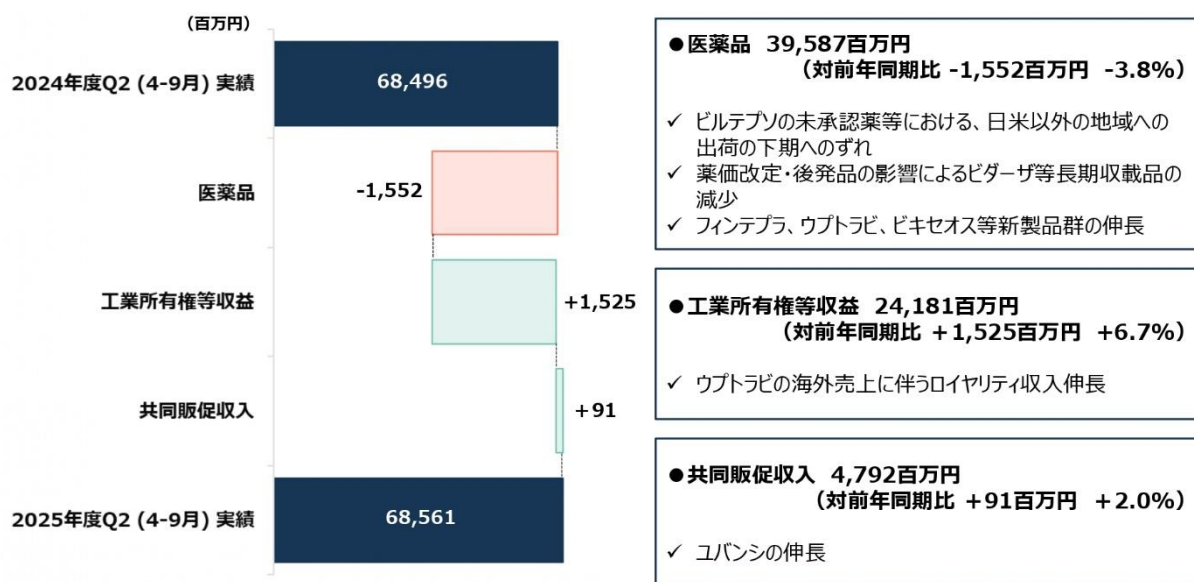
2025年度第2四半期の業績の概要ですが、前年同期と比べ連結売上収益は3億1,500万円増加の796億4,700万円、営業利益は17億1,200万円増加の195億8,000万円、税引前中間利益は18億3,000万円増加の200億2,900万円となりました。

法人所得税費用について、2024年度はNS Pharmaでの繰延税金資産の回収可能性が認められ法人税率が下がりましたが、当期はその影響を受けないため、法人所得税費用が増加しています。

その結果として、親会社の所有者に帰属する中間利益は、6億1,200万円減少し、157億6,000万円となりました。

医薬品売上収益の内訳

- 薬価改定や後発品の影響あり
- ウブトラビの国内売上および同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入、フィンテプラ等の売上が伸長



スライド6ページをご覧ください。

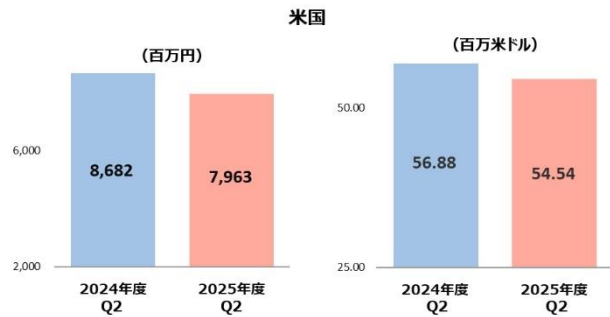
医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響で「ビダーザ」などの売上が減少したものの、「ウブトラビ」の国内売上および同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入や、「フィンテプラ」などの新製品群が伸長し、医薬品事業の連結売上収益は、685億6,100万円と、対前年同期比0.1%の増収となりました。

ビルテプソの売上

- ・米国の第2四半期は前年同期比減少
- ・通期売上は新規登録患者数の増加によりドルベースで微増の見込み

(百万円)	2024年度 Q2実績	2025年度 Q2実績	差異	増減率	2025年度 予想	2025年度Q2実績についてのコメント
日本	2,319	2,386	+66	+2.9%	4,800	✓ 現在投与中の患者数は中医協資料のピーク患者数128人の4分の3以上 ✓ 治療可能性のある20歳未満の患者把握を進めている
米国 (百万米ドル)	8,682 (56.88)	7,963 (54.54)	-718 (-2.34)	-8.3% (-4.1%)	16,300 (114.06)	✓ 複数の高額DMD治療薬が上市され、保険適応の更新審査が厳格化 ✓ 米国の新規登録患者数が増加しており、通期売上はドルベースで微増の見通し (2024年度売上実績は112.19百万米ドル)
計	11,002	10,349	-652	-5.9%	21,100	

為替レート	2024年度 Q2実績	2025年度 Q2実績	2025年度 下期予想
円 (対米ドル)	152.8	146.0	140.0



スライド7ページをご覧ください。

こちらでは、日米で販売を行っている「ビルテプソ」の売上をお示ししております。

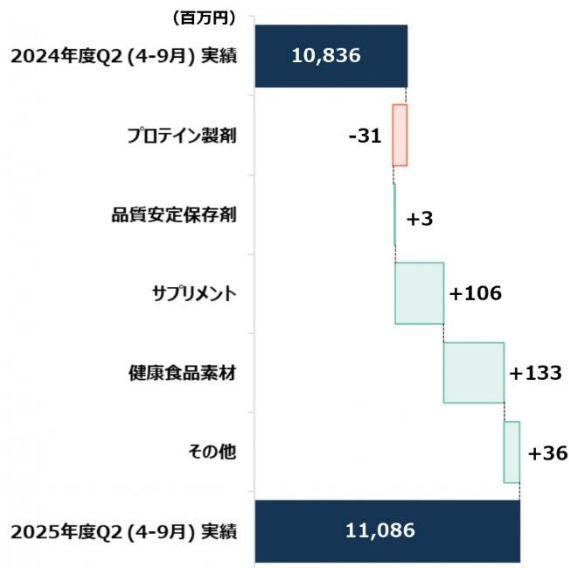
2025年度第2四半期の売上実績ですが、日本国内で23億8,600万円、米国で79億6,300万円となりました。

2025年度の通期の売上予想については、日本国内で48億円、米国で163億円を想定しております。

米国においては、第2四半期で前年同期と比べ減少していますが新規登録患者数が増加しているためドルベースでの通期の売上は微増となる見込みです。

機能食品売上収益の内訳

- ・プロテイン製剤は厳しい市場環境により微減
- ・美容関連需要の高まりで健康食品が伸長、市場拡大を受けサプリメントも堅調



●プロテイン製剤 6,861百万円
(対前年同期比 -31百万円 -0.5%)

- ✓ 加工食品業界向けの販売価格下落
- ✓ ユーザーにおける安価な原料への切り替え

●品質安定保存剤 1,624百万円
(対前年同期比 +3百万円 +0.2%)

- ✓ 重点ユーザーへの提案型営業を推進中

●サプリメント 1,309百万円
(対前年同期比 +106百万円 +8.9%)

- ✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長

●健康食品素材 621百万円
(対前年同期比 +133百万円 +27.5%)

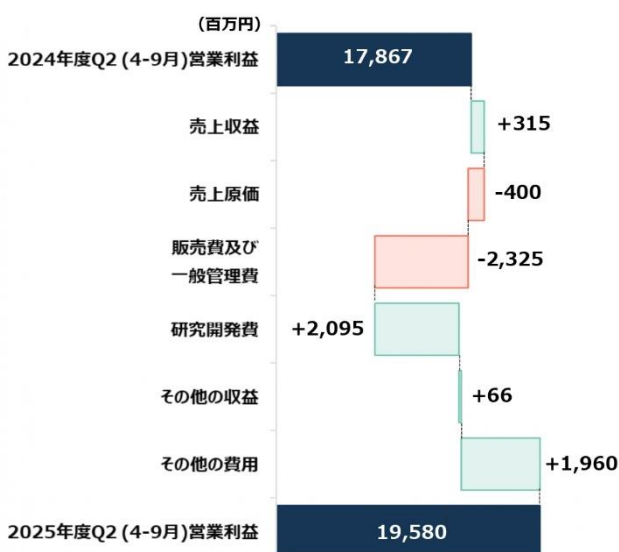
- ✓ 美容関連製品の需要が拡大

スライド 8 ページをご覧ください。

次に機能食品事業ですが、プロテイン製剤は厳しい市場環境により減収となりましたが健康食品素材、サプリメント等の売上が増加し、機能食品事業の連結売上収益は、110 億 8,600 万円と、対前年同期比 2.3%の増収となりました。

営業利益

- ・増収に加え、研究開発費の減少と為替差損の減少が寄与し増益



●売上収益 79,647百万円
(対前年同期比 +315百万円 +0.4%)

- ✓ フィンテブラ、ウブトラビ、ピキセオス等新製品群の売上伸長
- ✓ ウブトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入が引き続き伸長

●売上原価 25,336百万円
(対前年同期比 +400百万円 +1.6%)
原価率 31.8% : 0.4ポイント悪化

- ✓ 売上構成、薬価改定等により原価率悪化

●販管費 20,357百万円
(対前年同期比 +2,325百万円 +12.9%)

- ✓ 米国子会社NS Pharmaにおける販売費用の増加
- ✓ ウブトラビの売上増加に伴う、販促活動委託料の増加

●研開発費 14,637百万円
(対前年同期比 -2,095百万円 -12.5%)

- ✓ 委託研究費や試験薬製造費用の減少等

スライド 9 ページをご覧ください。

次に営業費用ですが、売上原価率は、売上構成や薬価改定の影響などにより前年同期と比べ 0.4 ポイント悪化し、31.8%となりました。

販売費及び一般管理費は、新製品の発売準備に伴う NS Pharma での販売費用の増加などにより、203 億 5,700 万円と、対前年同期比 12.9%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費や治験薬製造費用の減少などにより、146 億 3,700 万円と、対前年同期比 12.5%の減少となりました。

その他費用については、為替差損が減少し、結果として、営業利益は 195 億 8,000 万円と、対前年同期比 9.6%の増益となりました。

業績予想の修正

・売上収益の増加に加え、販管費、研究開発費、為替差損の減少により営業利益を30億円上方修正

(百万円)	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率	
売上収益	166,000	168,000	+2,000	+1.2%	●売上収益 168,000百万円 (前回予想比+2,000百万円 +1.2%)
（医薬品）	(143,000)	(145,000)	(+2,000)	(+1.4%)	✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーション（従来共同 販促収入として計上していたが、契約改定に基づき、 当社の製品売上および原価に計上されるようになった）
（機能食品）	(23,000)	(23,000)	-	-	
売上原価	51,200	57,000	+5,800	+11.3%	●売上原価 57,000百万円 (前回予想比+5,800百万円 +11.3%)
販売費及び一般管理費	44,000	43,000	-1,000	-2.3%	✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーション開始等
研究開発費	39,500	35,000	-4,500	-11.4%	●販売費及び一般管理費 43,000百万円 (前回予想比 -1,000百万円 -2.3%)
その他の収益	600	1,000	+400	+66.7%	✓ RGX-121の承認見込み時期遅れ（2025年11 月9日から2026年2月8日）に伴う米国販売費 用の減少等
その他の費用	1,900	1,000	-900	-47.4%	●研究開発費 35,000百万円 (前回予想比 -4,500百万円 -11.4%)
営業利益	30,000	33,000	+3,000	+10.0%	✓ ビルテアおよびその他品目の費用経費化の年度 ずれ等
金融収益	700	900	+200	+28.6%	
金融費用	100	200	+100	+100.0%	
税引前利益	30,600	33,700	+3,100	+10.1%	
法人所得税費用等	6,600	7,400	+800	+12.1%	
親会社の所有者に帰属する当期利益	24,000	26,300	+2,300	+9.6%	

*2025年8月7日 2025年度第1四半期決算発表

業績予想における2025年度下期の為替レートは1ドル=140円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.4億円増加、営業利益が約2.4億円増加を想定。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 10

スライド10ページをご覧ください。

続きまして、2025年度の業績見通しについて説明いたします。

こちらでは修正した業績予想と前回予想の差異をお示ししております。

連結売上収益は1,680億円と前回予想より20億円の増加を見込んでいます。

販売費及び一般管理費は、RGX-121のFDAによる審査期間の延長により承認見込み時期が遅れることなどからNS Pharmaでの販売費用が減少する見通しであるため10億円減少し、430億円を見込んでいます。

研究開発費は、ビルテプソやその他品目の費用の発生年度がズレることなどから 45 億円減少し、350 億円を見込んでいます。

その他費用については、為替差損の減少により、10 億円を見込んでいます。

その結果として、営業利益は 30 億円増加の 330 億円、税引前利益は 31 億円増加の 337 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益は 23 億円増加の 263 億円を見込んでいます。

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率	為替レート (円、対米ドル)		
	実績	売上比	予想	売上比			2024年度 Q2実績	2025年度 Q2実績	2025年度 下期予想
売上収益	160,232	100.0%	168,000	100.0%	+7,767	+4.8%	152.8	146.0	140.0
（医薬品）	(138,654)	(86.5%)	(145,000)	(86.3%)	(+6,345)	(+4.6%)			
（機能食品）	(21,577)	(13.5%)	(23,000)	(13.7%)	(+1,422)	(+6.6%)			
売上原価	51,116	31.9%	57,000	33.9%	+5,883	+11.5%			
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	43,000	25.6%	+4,988	+13.1%			
研究開発費	34,341	21.4%	35,000	20.8%	+658	+1.9%			
その他の収益	874	0.5%	1,000	0.6%	+125	+14.3%			
その他の費用	2,186	1.4%	1,000	0.6%	-1,186	-54.3%			
営業利益	35,450	22.1%	33,000	19.6%	-2,450	-6.9%			
金融収益	830	0.5%	900	0.5%	+69	+8.4%			
金融費用	145	0.0%	200	0.1%	+54	+37.5%			
税引前利益	36,135	22.6%	33,700	20.1%	-2,435	-6.7%			
法人所得税費用等	3,577	2.3%	7,400	4.4%	+3,822	+106.9%			
親会社の所有者に帰属する当期利益	32,558	20.3%	26,300	15.7%	-6,258	-19.2%			

業績予想における2025年度下期の為替レートは1ドル＝140円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.4億円増加、営業利益が約2.4億円増加を想定。

スライド 11 ページをご覧ください。

続きまして、業績予想の修正を踏まえて 2024 年度の実績と比較した 2025 年度の業績見通しについて説明いたします。

売上収益は 1,680 億円と、前期と比べ、4.8%の増収を見込んでおります。

営業費用については、売上原価率は 33.9%と、2 ポイントの悪化を見込んでおります。

販売費及び一般管理費は、13.1%増加の 430 億円、研究開発費は、1.9%増加の 350 億円を見込んでおります。

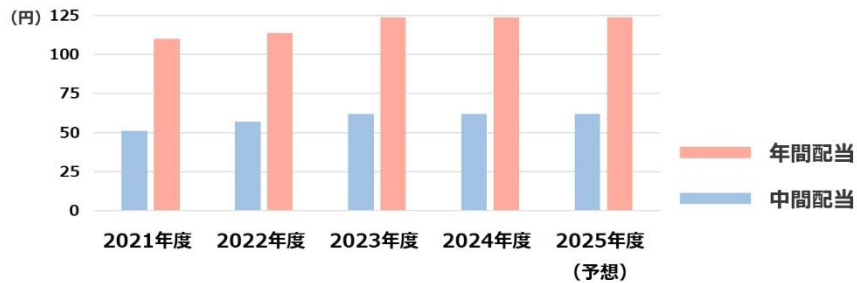
その結果として、営業利益は 6.9%減少の 330 億円、税引前利益は 6.7%減少の 337 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益は 19.2%減少の 263 億円を見込んでいます。

なお、業績予想における下期の為替レートは 1 ドル 140 円を想定しています。

配当予想

- ・ DOE（株主資本配当率）を勘案しながら安定的な配当を継続

	2024年度	2025年度
普通株式1株当たり配当金	中間配当金 62 円	62 円
	年間配当金 124 円	124 円（予想）
基本的1株当たり当期利益	483.40 円	390.20 円（予想）



スライド 12 ページをご覧ください。

当期の配当金につきましては、期末配当を1株当たり62円とし、中間配当とあわせて年間124円を予定しております。今後もDOEを勘案しながら、引き続き安定的な配当を継続してまいります。以上、2025年度第2四半期の業績と2025年度の業績見通しについて、説明を終わらせていただきます。

CAP-1002 (deramiciol) アップデート

September 25, 2025

Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramiciol Program for Duchenne Muscular Dystrophy Following Type A Meeting

- FDA and Capricor aligned on endpoints for HOPE-3 pivotal trial
- HOPE-3 pivotal trial completed; topline data expected mid-Q4 2025 to support BLA resubmission
- Company preparing to resubmit CRL response under the current BLA
- Conference call and webcast scheduled for today at 8:30 a.m. ET

SAN DIEGO, Sept. 25, 2025 (GLOBE NEWSWIRE) – **Capricor Therapeutics** (NASDAQ: CAPR), a biotechnology company developing transformative cell and exosome-based therapeutics for rare diseases, today announced a regulatory update for its Biologics License Application (BLA) for Deramiciol, the Company's investigational cell therapy for the treatment of Duchenne muscular dystrophy (DMD). This update follows a recent Type A meeting with the U.S. Food and Drug Administration (FDA) after the receipt of a Complete Response Letter (CRL) in July 2025.

The goal of the Type A meeting was to establish a path toward potential approval of Deramiciol for the treatment of DMD. Key outcomes included:

- The HOPE-3 clinical trial should serve as the "additional study" requested in the CRL.
- The HOPE-3 data can be submitted within the current BLA, maintaining PUL v2.0 as the primary efficacy endpoint and suggesting left ventricular ejection fraction (LVEF) as a key secondary endpoint, which Capricor intends to request for labeling consideration.
- Capricor plans to submit HOPE-3 data with its complete response to the CRL, with the goal of securing a label encompassing both cardiac and skeletal muscle function in DMD. In its meeting minutes, the FDA further emphasized its commitment, stating: "The FDA remains committed to collaborating with the applicant and will exercise further regulatory flexibility by reviewing data from the HOPE-3 trial."

"We are encouraged by the outcome of our discussions with the FDA, which provided clarity on our regulatory strategy and reinforced the opportunity to deliver HOPE-3 data as the basis for approval, should it meet regulatory requirements," said Linda Marban, Ph.D., Capricor's Chief Executive Officer. "The results from the HOPE-2 and HOPE-2-QLE studies have already demonstrated clinically meaningful and statistically significant benefits in both cardiac and skeletal muscle function, and HOPE-3 is designed to further validate these findings in an adequate and well-controlled study. With HOPE-3 completed and data expected later this year, we remain confident in our ability to advance Deramiciol toward potential approval. Above all, our mission remains unchanged: to bring this therapy to patients and families living with Duchenne as quickly as possible."

Importantly, prior to issuance of the CRL, the majority of the BLA had undergone rigorous review with no significant deficiencies identified by the FDA during the middle review or pre-licensing inspections. All CMC items identified in the CRL have been addressed and communicated to the FDA. Capricor believes that the addition of HOPE-3 data will further strengthen the clinical package and support the broad potential of Deramiciol as a treatment for DMD.

The Company also maintains a strong financial position to support the advancement of Deramiciol through regulatory review and toward potential launch.

- ・ 米国のカプリコール・セラピューティクス（カプリコール社）は、2025年7月に米国FDA（食品医薬品局）から受領したCAP-1002のBLA¹承認申請に関する審査完了報告通知（Complete Response Letter²）について、8月に開催されたType-A ミーティング³内容を開示した
- ・ 第Ⅲ相試験（HOPE-3）追加データ提出によってFDAの審査が再開される見込み
- ・ HOPE-3の主要評価項目の上肢機能（PUL v2.0）から心機能（LVEF⁴）への変更は認められなかったが、カプリコール社はLVEFを重要な副次評価項目と位置づけ、引き続きデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）心筋症での承認（および適応拡大の可能性）を目指す

1. BLA (Biologics License Application) : 生物製剤承認申請
2. Complete Response Letter (CRL) : FDAが承認申請の審査が完了した時点で、現在の申請内容では承認を出せないと判断した場合に、申請者に対して発行する通知書
3. Type-A ミーティング : CRL受領等によって承認申請プロセスが滞った製品開発プログラムに対するFDAとの協議の場
4. LVEF (Left Ventricular Ejection Fraction) : 左室駆出率

出所：2025年9月25日 カプリコール社開示

続きまして、ここからは CAP-1002 のアップデートについて説明させていただきます。

スライド 14 ページをご覧ください。

現在、カプリコール社が BLA を申請中の CAP-1002 につきまして、カプリコール社が発信しているプレスリリースに沿って説明させていただきます。

すでに試験が完了しています HOPE-3 試験については CRL にて要求された追加試験と位置づけられており、そのデータによって FDA の審査が再開される見込みです。

HOPE-3 試験の主要評価項目については、上肢機能を評価する PUL2.0 から心機能を評価する LVEF への変更は認められませんでした。カプリコール社は LVEF を重要な副次評価項目として、引き続き DMD 心筋症での承認を目指す、としています。

CAP-1002 (deramiciol) : 開発スケジュールアップデート

- ・ 2025年8月に開催されたFDAとのType-Aミーティングを受け、カプリコール社は提出済BLAに追加する形で、新たに第Ⅲ相試験 (HOPE-3) のデータを提出することとなった。
- ・ HOPE-3のトップラインデータの開示は今後数週間、2025年Q4 (10-12月) 中に予定されている。

	CRL受領についての開示 (2025年7月15日) 以前	現状 (2025年11月10日開示時点)
承認申請	2024年末に提出されたBLAを、FDAが2025年3月に受理	HOPE-3 (コホートAおよびB) データは、現行BLAへの追加提出が可能
PDUFA (FDA承認) 予定日	2025年8月31日	未定 ¹ FDAが求めるすべての追加資料の提出が受理された段階で、新たな承認予定日 (PDUFA) が示される見込み
審査期間	-	Class 2に基づき、追加資料の受理後、最長6か月 ¹
上市予定時期	承認後、可能な限り速やかに	PDUFA通知され次第、決定 ¹
各種指定	1. Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) 指定 2. Orphan Drug 指定 3. Rare Pediatric Disease 指定	左記と同じ (CRL受領後も維持される)
想定される承認	第Ⅱ相試験 (HOPE-2) およびオーブンラベル継続投与 (HOPE-2 OLE) 試験で得られた、副次評価項目である心機能 (LVEF) データを自然歴データと比較し、正式承認 (full approval) を目指した	左記及びHOPE-3データにもとづく承認 主要評価項目はHOPE-2と同じく上肢機能 (PUL)、副次評価項目は心機能 (LVEF) 等
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) 心筋症	引き続きデュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) 心筋症 (および適応拡大の可能性) での承認を目指す
主なイベント	承認に向け、FDAとのLate-cycle meeting およびAdvisory Committee を予定していた	今後数週間、2025年第4四半期 (10-12月) 中にHOPE-3 (コホートAおよびB) のトップラインデータを開示予定

1. Class 1 あるいはClass 2は、CRL後の追加資料提出に適用される分類。Class 2は、比較的に軽微なClass 1に該当しない「大きな修正」等であり、審査期間は最長6か月

出所：カプリコール社開示 15

スライド 15 ページをご覧ください。

今後の開発スケジュールについて、新たな審査終了目標日である PDUFA date は未定ですが、HOPE-3 試験のコホート A およびコホート B を含むトップラインデータについては 2025 年内には開示される予定です。

上市時期については PDUFA date が決まり次第、決定予定としていますが、2026 年の上市を見据えて販売準備を進めています。

米国販売準備（1/2）

CAP-1002およびRGX-121の米国上市に向け、採用活動を強化し、人的資源の再配分を実施

採用活動の強化

2025年1月以降、米国子会社NS Pharma（NSP）全体では約30名を採用
コマーシャル部門は更に10名程度の増員を計画

バイヤーコミュニケーション、マーケティング、販売等の
担当者も採用、新製品上市に向けた準備を進行中

（2025年10月現在、NSP社員数は約160名、
うち約80名がコマーシャルまたはメディカル部門、販売担当は24名）

体制整備

- ・販売担当は、
KAM（Key Account Manager、最重要施設担当）と
ABM（Area Business Manager）に分け、専門性を強化
- ・フィールドスタッフのチーム連携を強化
 - 販売担当（KAM/ABM）
 - 保険償還担当（DPA: Director of Patient Access）
 - 患者支援担当（PEL: Patient Engagement Lead）

体制構築は2025年度Q2末時点でほぼ完了
（新製品上市まではビルテプソの販促活動に注力）

後続の導入品 ATSN-101、RGX-111についても
この体制で対応する予定

17

それでは、ここからは、米国における販売準備の状況について説明いたします。

スライド17ページをご覧ください。

CAP-1002 および RGX-121 の米国上市に向けて、NS Pharma では採用活動を強化しており、2025 年 1 月以降に約 30 名を採用しました。その結果、2025 年 10 月時点での NS Pharma の社員数は約 160 名となり、そのうち約 80 名がコマーシャルまたはメディカル部門に所属しています。

今後、コマーシャル部門はさらに 10 名程度の増員を計画しています。

販売担当の 24 名については、Key Account Manager（KAM）と Area Business Manager（ABM）の役割に分けることで、専門性の向上を図っています。

また、販売担当、保険償還担当、患者支援担当といったフィールドスタッフが、同一エリアで連携して活動することで、チームとしての一体感を高めています。この体制は 2025 年度第 2 四半期末時点でほぼ整備が完了しており、現在はビルテプソの販促活動に注力している状況です。

後続の導入品である ATSN-101 や RGX-111 についても、同様の体制で対応していく方針です。

米国販売準備 (2/2)

CAP-1002 カプリコール社と連携し、今後のHOPE-3試験結果、FDA申請情報を基に、上市準備を進める

市場調査と薬価・需要予測

- ・医療従事者・患者・介護者・保険者を対象とした市場調査を実施
- ・調査結果を参考に想定薬価や需要予測を検討

販売・サポート体制の準備

- ・保険償還、HUBサービス、患者サポート、疾患説明資料の準備¹
- ・ブランド戦略、フィールドスタッフの活動計画の策定

サプライチェーンの整備

- ・超低温輸送での供給網の整備
- ・投与可能施設の選定

臨床試験参加患者への対応

- ・臨床試験に参加した患者が商業製剤の待機患者になるため、医療機関に切り替え手順を確認

RGX-121

米国でムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ）の診療を行っている中核病院は限られることから、処方施設を特定し、速やかに市場浸透を図る

投与施設の選定

- ・MPSⅡ患者を管理し商業用遺伝子治療に対応可能な認定治療センターを複数特定、施設との関係構築を開始

販売戦略・患者団体・学会活動

- ・MPS関連学会にブース出展、MPSⅡ患者会に協賛
- ・REGENXBIO社と連携し、FDAに追加提出したピボタル試験長期データを踏まえ、マーケティング戦略を更新

1. HUB（包括的患者支援）サービス：保険償還を含む薬剤投与に関わる包括的なサポートを実施

18

スライド18ページをご覧ください。

次に、米国での上市に向けた具体的な準備内容について説明いたします。

CAP-1002 については、カプリコール社と連携し、HOPE-3 試験の結果や FDA への申請情報をもとに市場調査を実施し、その結果をもとに薬価の想定や需要予測を行います。

販売・サポート体制としては、保険償還体制の整備や、包括的な患者支援サービスである HUB サービスの構築などを進めています。

サプライチェーンについては、超低温輸送に対応した供給網の整備をしており、投与可能施設の選定を行っています。

また、臨床試験に参加された患者さんは商業製剤の待機患者となるため、医療機関と連携し、切り替え手順の確認も進めています。

また、RGX-121 について、ムコ多糖症Ⅱ型は希少疾患であることから、診療を行う中核病院が限られるため、投与施設を選定し、施設との関係の構築を始めています。

その他、関連学会へのブース出展や患者会への協賛を行うことで、認知度向上を図るとともに REGENXBIO 社と連携し、長期データを踏まえた、マーケティング戦略を更新しています。

このように当社は、パートナー企業との信頼関係をさらに深めながら、米国市場での販売準備を着実に進めております。

一刻も早く、一人でも多くの患者さんに、当社の製品をお届けできるよう、これからも全力を尽くしてまいります。

以上、私からの説明は終わらせていただきます。

続きまして、研究開発の進捗状況について、研究開発担当の桑野より説明させていただきます。

直近1年間のR&Dアップデート（1/2）

赤字：前回の決算発表（2025年8月7日）からの更新

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
PⅢ試験	NS-065/NCNP-01 (ビルトラセン)	ビルテプソ	・ 301試験報告書のFDAレビューは2025年12月中に完了予定 ・ 303試験のプロトコルについてFDAへ照会中	2025年10月
適応追加	LY3527727 (ビルトルチニブ)	ジャイパーカ	他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性の慢性リンパ性白血病（小リンパ球性リンパ腫を含む）	2025年9月
発売	NS-304 (セレキシバグ)	ウブトラビ	ウブトラビ錠小児用0.05mg	2025年3月
適応追加			小児肺動脈性肺高血圧症	2024年12月
発売	ACT-064992D (マシテンタン/タダラフィル)	ユバンシ	肺動脈性肺高血圧症	2024年11月
申請中	RGX-121 (demidsogene lanparovvec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型 (米国FDAによる審査期間延長：PDUFA date ¹ 2026年2月8日)	2025年8月（米国）
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシエンヌ型筋ジストロフィー心筋症 (カプリコール社がFDAからCRL ² を受領)	2025年7月（米国）
申請中	NS-401 (タグラキソフスブ)	—	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2025年3月
PⅢ試験	GA101 (オビヌズマブ)	ガザイバ	ロシュ社が、小児および若年成人の特発性ネフローゼ症候群に対する第Ⅲ相INShore試験のトップライン結果発表	2025年10月
PⅢ試験	ZX008 (フェンフルラン塩酸塩)	—	ユーシービー社が、CDKL5欠損症を対象とした国際共同PⅢ試験において、主要評価項目の達成を発表	2025年6月

1. PDUFA (The Prescription Drug User Fee Act) date: FDAによる審査終了目標日

2. CRL (Complete Response Letter): 審査完了報告通知。FDAが承認申請の審査が完了した時点で、現在の申請内容では承認を出せないと判断した場合に、申請者に対して発行する通知書

20

桑野：研究開発の桑野と申します。

続きまして、研究開発品目の進捗状況について 2025 年度 第 1 四半期の決算以降でアップデートした品目につきまして説明いたします。

スライド 20 ページをご覧ください。

「ビルテプソ」につきましては、301 試験報告書の FDA のレビューは 12 月中に完了する予定であることを確認しています。

また、303 試験については最終のプロトコルに関して FDA に照会しています。米国子会社の NS Pharma においては、303 試験のプロトコルが確定すれば、速やかに試験を開始できるよう、本社の研究開発部門と連携しながら実施国や施設の選定を進めています。

「ジャイパーカ」につきましては 9 月に「他の BTK 阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性の慢性リンパ性白血病」に対する適応追加承認を取得しました。

「RGX-121」につきましてはFDAによる審査期間が延長され、審査終了目標日である PDUFA date が 2025 年 11 月 9 日から 2026 年 2 月 8 日に変更されました。

ガザイバにつきましては、ロシュ社が、小児および若年成人の特発性ネフローゼ症候群に対する第 3 相試験のトップライン結果を発表しました。

この試験では、主要評価項目の投与開始 1 年後の持続的完全寛解において、ガザイバ投与群はミコフェノール酸モフェチル群と比較して、統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善を示しました。

直近1年間のR&Dアップデート (2/2)

赤字：前回の決算発表（2025年8月7日）からの更新

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
ライセンス契約締結 (リジェネクスバイオ社)	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	Δコ多糖症Ⅱ型	2025年1月 (米国および日本含むアジア)
	RGX-111	—	Δコ多糖症Ⅰ型	
ライセンス契約締結 (アトセナ・セラピューティクス社)	ATSN-101	—	GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障	2024年11月 (米国および日本)
オプション契約締結 (AB2 BIO社)	Tadekinig alfa	—	NLR4異常症およびXIAP欠損症	2025年1月 (米国)
研究提携 (ボストン小児病院)	—	—	希少疾患に対する革新的な治療薬の開発を目的とした、 戦略的提携	2025年7月 (米国)
ファストトラック指定	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2025年9月 (米国)
オーファンドラッグ指定				2025年4月 (米国)
オーファンドラッグ指定	NS-051/NCNP-04	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2025年9月 (米国)
希少小児疾患指定				2025年1月 (米国)
先駆的医薬品指定および 希少疾病用医薬品指定	NS-089/NCNP-02 (プロギルセン)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年12月 (日本)
学会発表			世界筋学会における長期試験解析データ (投与3.5年) 発表	2025年10月
論文掲載			医師主導治験 (First In Human試験) 結果 : Cell Reports Medicine誌	2025年1月

21

スライド 2 1 ページをご覧ください。

好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤の「NS-229」につきましては、9 月に米国においてファストトラック指定を受理しました。

「NS-051/NCNP-04」につきましては、9 月に米国においてオーファンドラッグ指定を受理しました。

「NS-089/NCNP-02」につきましては、10 月にオーストリアで開催された第 30 回世界筋学会において投与 3.5 年までの有効性および安全性について発表されました。

今回の発表は NCNP が実施した医師主導治験および当社が実施した継続投与試験に基づいており、6 例のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者さんに対し、投与開始から 3.5 年までの有効性および安全性を評価し、本剤が疾患の進行抑制に寄与する可能性が示唆されました。

以上、研究開発の進捗状況について説明を終わらせていただきます。

質疑応答

武智 [M]：それでは、これより質疑応答セッションを開始いたします。ご質問をお受けする順番といたしまして、まずはアナリスト、機関投資家の皆様からご質問をいただいた後、報道関係者の皆様のご質問に移ってまいります。

会場でご質問のある方は、こちらで指名させていただきますので、挙手をお願いいたします。係の者がマイクをお持ちいたします。またオンラインでご質問のある方は、挙手ボタンを押してください。

なおご質問される際には、会社名とお名前を述べられた上、ご発言くださいますようお願い申し上げます。

それでは、ご質問を承ります。田中さん、よろしくお願いいたします。

田中 [Q]：みずほ証券の田中です。今日はありがとうございます。

まず決算なので決算のことで、今回、アーリーダでリバース・コ・プロということだったわけですが、売上と原価を計上しますということですが、利益の取り分はどう変わるのでしょうか。

あと、有価証券報告書には2027年4月までのコ・プロの契約って書いてありますけれども、既に特許延長5年が認められているので、これも5年は延長されると考えてよろしいのでしょうかということが、まず第1点です。

中井 [A]：ご質問、ありがとうございます。それでは私より、簡単にご説明いたします。

利益の取り分、この契約変更によってどう変わるのかにつきましては、原則大きく変わるものではないです。ですので売上が計上できますその分、原価に乗ってくる。それを差し引いて、販管費に係る費用も引いて、最終的に残る利益については大体同程度の枠組みでございます。

契約期間がどうなりますかということにつきましては、こちら既に原契約は有価証券報告書でご案内のとおりですが、実際に契約期間も延長となります。こちら今回、契約変更をした理由の一つでございまして、われわれとしましては泌尿器科領域、日本国内での営業活動は非常に活発に行っておりまして、泌尿器科領域ではプレゼンスが十分にある会社であると、当社としては認識しております。

引き続き泌尿器科領域にアーリーダをお届けする、より長期にお届けすることで、患者さんならびに会社業績に貢献していきたいと考えているということでございます。

具体的な何年まで延長しましたかということにつきましては、申し訳ございません、パートナーとの関係上、今お答えできないということで、ご容赦いただければと思います。

田中 [Q]：分かりました。これ 63 億円乗っているんですけども、これは下期からなんですか。いつからなんですか。

中井 [A]：下期からです。

田中 [Q]：あと 2 点目が、これも決算です。ビルテプソの未承認国向けの売上がこの上半期、がくんと減っているんですけども、それもあって、63 億円アーリーダが乗っかってても医薬のところであまり増えていないというか、ということだと思うのですが、これは何があったんですか。

中井 [A]：ありがとうございます。実際にビルテプソ、未承認薬につきましては、いわば海外への輸出といいますか、輸出ベースでその時点で売上が発生します。ですので、出荷のタイミングで売上が計上できることになりますので、今回上半期は出荷がなかったことで、それが下期には計画されておりますので、そういう状況でございます。

田中 [Q]：これは、通期で見たら変わらないということですか。それとも上半期末達の分というか、減った分は。

中井 [A]：通期のトータルでは、ほぼ同じでございます。前年度と同じような傾向でございます。出荷のタイミングで、上半期の分が下半期にずれたということだけで、理解いただければと思います。

田中 [Q]：分かりました。あと CAP-1002 のことで、結果がもうすぐ出るので、もちろん全部ポジティブな結果だったら良いんですけども、もともと心筋症のほうの LVEF のほうが画像でやるから、成功確率が高いと御社はおっしゃっていたのですが。こっちのほう为主要評価項目にならなかったことで、統計解析の計画書とかでどんなふうになっているんでしょうか。

仮に PUL v2.0 のほうで差が出なかった場合に、LVEF も普通に解析をして、差があれば OK なんでしょうかということと。

あと今週のカプリコールの説明だとコホート B、サンディエゴのほうで有効性を見るといったような感じがするんですが、これについてもちょっと説明をしてください。

中井 [A]：ありがとうございます。実際に主要評価項目が、if のケースですけれども未達であった場合に、副次評価項目をどのように扱うのかということについては、それこそ FDA との交渉といえますか、話し合いになるかと考えております。これはカプリコールからのご案内と同じです。

そうはいいまでも、心機能のほうの評価項目を、副次とはいうものの重要な副次評価項目という表現をしておりますので、そういった意味では主要評価項目が達成を逃した場合において、LVEF で良好な p 値が得られた場合は、積極的にカプリコールは交渉しますし、FDA もそこは交渉のテーブルには十分乗ってくることかと考えております。

もう一つコホート B については、こちらもほぼほぼカプリコールのご説明のままだとわれわれも考えておりますけれども、実際にコホート B が商業用のサイトだということで、そのコホート B での結果がより承認のために必要なコホートといえますか、だということで、そこを注視して解析していくということは聞いております。

田中 [Q]：全体解析とコホート B だけの解析だと、コホート B の解析のほうが大事ということになるんですか。

中井 [A]：コホート B のほうが商業用なので、あとはコホート B の部分が心臓の MRI での、そっちのほうの差異を見ているんですよね。またフォローしてもらえればと思いますけれども、ですのでもその差異を見ている内容のほうを重視して、交渉していこうとしているということだと思います。

コホート A、B 両方ですと検出率が 90%で、コホート B だけだったら検出率が 80%ということはカプリコール社も発表はしておりますので、そういう検出力は若干違うものの、コホート B のほうを重要視しているという理解でございます。

田中 [M]：分かりました。ありがとうございます。

武智 [M]：では、橋口さん。

橋口 [Q]：大和証券の橋口です。ビルテプソの米国の状況について、いくつか教えてください。

新規の登録患者数が増加していて、通期では微増ということは下期は増加ということだと思うんですけれども、これは少し傾向が変わってきたと考えていいのか。

それともある程度、時期によって変動があるその範囲内で、大きなトレンドとしては以前おっしゃっていたように、今後はおおむね横ばい、若干微増というトレンドから変わっていないと受け止めたほうがいいのか。

まず、その見方を教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。私よりご回答いたします。米国ですね。上半期の状況は年度の5月の決算のときにご案内したとおり、少しフラットな状況でスタートはしました。

それでその後、上半期、日が経つにつれ、新規の獲得患者は増えてはきているんですけれども、併せて脱落した患者さんも数例ございまして。その脱落分が実際にちょっと売上のほうに影響を与えたような状況で、上期は推移しました。

特に上半期の後半に、患者獲得のペースがさらに上がりつつあります。こちらがちょうど、やはり競合の関係で、一つは遺伝子治療を投与されていた患者さんが、ビルテプソに帰ってきたような症例も出てきました。

ですので、今後の環境変化としましては、そういった遺伝子治療にビルテプソからスイッチした患者さんですとか、最初から遺伝子治療を使った患者さんたちが、当社のビルテプソのほうに戻ってくる流れができてきているんじゃないかとは感じております。

併せて、これは社内のことですけれども、NS Pharma の体制を整えるにあたって、人も充実してまいりまして、そのチームが今活動する品目がビルテプソだということで、より注力が高まっているところから、下期にはこのような自信のある計画をご案内していることと、またさらには、中長期にはまだ成長できるんじゃないかと、われわれは考えているということでございます。

橋口 [Q]：ありがとうございます。それから当局とのやり取りの今後の流れを確認させていただければと思うんですけれども、301 試験のレビュー、12 月に完了予定というタイミングで、303 試験のプロトコルについての見解も得られると思ったほうがいいのか、それともここのタイミングが少しずれる可能性があるのか。

また、われわれにはこの結果をいつ、どのようなかたちでご説明いただけそうかを、今の見通しを教えていただけないでしょうか。

中井 [M]：ありがとうございます。ビルテプソの FDA とのレビューの状況につきましては、研究開発の桑野からご説明してもらうことにします。

桑野 [A]：桑野です。よろしくお願いいたします。既にいくつかご発表はしていると思うんですけれども、FDA からの返答が先ほど申しましたように 12 月に返ってくるだろうと。それに先立って、301 試験の結果のわれわれなりの解釈は既に提出しております。ですから、その返答は当然あるものとは考えておりますし、その後、303 試験の最終版のプロトコルもご提出しております。これは FDA からの要請に基づいてご提出しております。

ですので、この二つに関して 12 月の下旬までになんらかの返答があると、われわれとしては期待しております。その返答内容次第ではありますけれども、期待どおりのものであればすぐに次のアクションにも移りますし、そうでなければ引き続き、交渉を続けていく必要があろうかと思えます。

その辺りのことが落ち着いた辺りで、今お話のあった皆様へのご報告ができる段になってくるのかなと考えております。

橋口 [Q]：落ち着くというのは、どれぐらい。返答の内容にもよるんでしょうけれども。

桑野 [A]：はい。そのように考えております。

中井 [A]：私から補足しますと、返答の内容次第というのは橋口さんがおっしゃるとおりで、それが大きな当社のビジネスに影響を与えるような回答内容であれば、それこそ可及的速やかに皆さんに開示することになるかとは考えております。

橋口 [Q]：ありがとうございました。最後にビキセオスが伸び悩んでいる理由について、ご解説いただけますか。

中井 [A]：ありがとうございます。ビキセオス、5 月の本決算のときには非常に高い伸びを示すということで計画を立てておったんですけれども、上期を振り返りまして、状況につきましては営業担当の岩田より回答いたします。

岩田 [A]：岩田よりご説明させていただきます。ビキセオスですが、従来 ICT、intensive chemotherapy とアザベネ（アザシチジン＋ベネトクラクス併用療法）が行われているような治療のところが高リスク AML なんですね。その本当は間に入ってくるような薬剤が、今回のビキセオスなんです。

ただ、このビキセオスが従来の同様のよう成分が入っていますので、このミソはリポソーム化されていることによって、やっぱり効果でしたり副作用に違いが出るんですけれども、そこをきちんと理解いただくに至らなかったところが、ちょっと遅れている原因だと思います。

実際、リポソーム化による臨床的な意義を今、しっかりと先生方にお届けしているところで、作用機序に関しましては、外部調査ですとしっかり理解いただけるようになってきたと。あとはやっぱり発売してからの臨床経験を、使っていただいた先生方がより実感を伝わっていくという作業に今、入っているところでございます。

なのでリポソーム化がしっかりと伝わらなかったのが、主なこの遅れの原因でございます。

橋口 [M]：ありがとうございました。以上です。

武智 [M]：では酒井さん、よろしくお願いします。

酒井 [Q]：UBS の酒井です。今の質問とちょっとかぶるのですが、301 試験を FDA がレビュー中でも、今、社長がおっしゃったように遺伝子治療から患者が移ってきているとか、それから新規の患者登録が増えていますよというお話だったんですけれども。それに関しては、FDA は特に規制をかけるようなことはしていなかったという理解でよろしいのでしょうか。

あとは 301 試験の結果レビューが終わった時点で、これは新たに仕切り直しになりますというのが、これは営業面へのインパクトと考えておいてよろしいんですか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。実際にビルテプソをアメリカで販売活動をするにあたって、FDA からなんらかの活動の制限ですとか、そういうものは全く受けてはおりません。です。で、今現在の Accelerated Approval のステータスで、ビルテプソを米国で宣伝している状況です。その Accelerated Approval のステータスで、保険会社も償還してくれていますし、競合、ジェーンセラピーであったり他のエクソンスキッピング薬との差別化なども行って、プロモーションを進めている状況でございます。

酒井 [A]：ありがとうございます。それと関係して国内です。これは PMDA のほうとの協議になっていると思いますけれども、いわゆる条件付き承認ですね。条件付き承認って結構、ほかでいろいろな問題とはいいいませんけれども、課題が山積しています。とりあえずは PMDA と御社との協議は特に問題なく進んでいるとは思いますが、今後、国内はどういうふうに私たちは見ておけばよろしいですか。

中井 [M]：ご質問ありがとうございます。国内の PMDA とのディスカッションの状況につきましては、研究開発の桑野からご説明させていただきます。

桑野 [A]：ご質問ありがとうございます。実際、PMDA であるとか厚労省であるとかから、このビルテプソに関してお話ししようという申し出はいただいています、実際、協議しております。今後もう少し時間をかけて、お話を続けていく予定にはなっております。

内容的に順調かどうかは、前向きな話ができているのかなとは思っております。

酒井 [Q]：国内の患者数ですけれども、これは大体、確か中医協で提出された数字に迫ってきていると思うのですが、当然脱落もありますから、ネットでいくら、真水で何人というお話になると思うんですけれども、今後はどのような感じで考えておけばよろしいですか。

ある程度、脱落は仕方ないなという局面に入ってきているのか。当初の患者数の予想が、実際はもっと多いですよという話をされていたと思うんですけども、その辺、もう少し見通しを教えてくださいいただけますか。

中井 [A]：ありがとうございます。まずは最初に簡単に私からご説明して、詳しい内容は岩田よりお話しします。

実際にご案内している、中医協でのピーク患者数は 128 名でして、既に投薬されている患者さんはその 4 分の 3 以上の患者さんには投薬が進んだということで、一部脱落された患者さんもいらっしゃいます。

ほぼほぼ日本にいらっしゃるエクソン 53 スキッピング対象の患者さんは、大体はもう把握はしておるんですけども、その中で特に治療の可能性のある 20 歳未満の患者さんは、常に把握は進んでおりまして。投薬の準備がされている患者さんも、中にはいらっしゃるような状況でございます。また補足は、岩田より行います。

岩田 [A]：今後の見通しですけども、実際、発症率、70 万人ぐらいいらっしゃる中で、大体 7,500 人に 1 人くらいが発症されるといわれています。その中で男児で 8%ぐらいいらっしゃることを考えますと、年に数人です。4 人とか、その辺の計算になると思うんです。

そういった患者さんが、実際に今でも定期的に新しい患者さんが見つかっていまして、お届けできているのがここ数年、続いております。この傾向は変わらないのかなと。毎年数例ずつ、患者さんにお届けできているような状況が続くと思っています。以上です。

酒井 [M]：ありがとうございます。

武智 [M]：和田さん、お願いします。

和田 [Q]：SMBC 日興証券、和田です。ありがとうございます。私は 2 点ありまして、1 点目、上方修正のところの、特にコストのところをお伺いしたいです。

コストの前提で、修正された販管費と R&D 費に対する進捗率は、若干やはり下期が重めになっているのかなと。特に R&D 費は 40%ちょっとぐらいしか進捗していないかたちになっているので、下期かなり重いんですけども、こちらのこういったところで立てられているかをお伺いしたいです。

先ほどビルテプソの 303 試験の話もあったので、そこを既に入られているのかどうかになるかなと思うのですが、いかがでしょうか。

中井 [M]：ありがとうございます。いただいたご質問につきましては、経営企画担当の枝光より回答いたします。

枝光 [A]：枝光です。私から説明させていただきます。上期の実績を踏まえて、今般、コストも見直しております。今ご質問のありましたビルテプソにつきましては、状況を当然のことながら織り込んで、計画を修正しているということでございます。

もう少し詳しく申しますと、販管費につきましては、RGX-121 が前回発表以降、審査完了日が3カ月ほど延びましたので、その分、販管費も修正しているところです。研開費につきましては上期の実績で若干、臨床開発の遅れで費用がずれている分も含めて、若干下期に寄ってしまっているところと、その影響もあってさらにずれているところもありまして、その分について減額修正しているような状況でございます。以上です。

和田 [Q]：ありがとうございます。2点目です。開発パイプラインの NS-089 の話をお伺いしたいと思っています。

ノバルティスさんがアビディティ社を買収してしまっていて、これがリードパイプライン、デルゾタとかっていうものがあるんですけれども、それが今フェーズ2にあるエクソンスキッピング薬、かつADCの核酸バージョンのAOCって彼らは呼んでいますけれども、核酸抗体複合体みたいなもので開発されていて、同じようなフェーズのところにいらっしゃるのかなと思っています。

なので買収されたことによって、これから開発であるとか販売であるとか、加速化していくのであるとかということが考えられるかなと思っておりますけれども、御社の次世代、2本目、3本目の核酸のところの開発が、提携であるとか戦略が変わらないかをお伺いしたいです。先方のパイプラインの評価も含めてお伺いしたいなと思いますが、いかがでしょうか。

中井 [M]：ご質問ありがとうございます。まずアビディティ社のデルゾタとどのように違うのか、どういうふうに関われわれは勝負していくのかという点については、研究開発の桑野よりお話しします。

桑野 [A]：今般、ノバルティス社に買収された品目に関しては、われわれも非常に脅威だと当然ながら考えております。

有効性に関してわれわれなりに、公表されているデータと、われわれのデータを比較してみましたところ、有効性に関してはほぼエクソンスキッピング、あるいはジストロフィンの発現、運動機能、いろいろ違いは多少ございますが、ほぼ同等なのかなと思います。

ただ一番違うのは投与頻度といいますか、先方が6週間に1回に対して、当社は毎週投与が必要ということで、その利便性に関しては先方のほうがアドバンテージがあるのかなと思っております。

一方で安全性ですけれども、アビディティ社様の品目は5ミリグラム投与で、確か9例中2例で脱落例があったのかなと思います。1例はアナフィラキシーだったと承知しておりますが、当社の品目は既に発売済みのビルテプソもそうですが、モルフォリノ核酸ということで非常に安全性が高いと。ここが非常に大きな特徴かなと思います。

ですので、トータルで見るといろいろ違いはある。利便性に関してはもちろんディスアドバンテージではあるんですけれども、安全性が高いという特徴を生かして、なんとか患者様にお届けしたいなと考えているところです。以上です。

中井 [A]：併せていただきましたご質問、例えば次世代の核酸医薬については、自社単独でやるのかとか、その辺りはどのように戦略的に考えているのかというご質問かと理解しておりますが、こちらは私より回答いたします。

実際にモルフォリノ核酸、PMOは当社、NS-089はじめNS-050等で開発は進めておりますが、それに続くような次世代型の核酸医薬は、まだ自社の研究所でも研究しているところで、かつそれに新しい何かを付けて、より活性が高いですとか、長く効果が維持されるような技術については、現在いろいろな、例えばエクソソームであったり、そういうところは鋭意パートナーといいますか、良い技術を持っている会社さんと手を組むべく、今検討を進めているところです。

ですので、こういう新しい次世代のところについては、決して自社だけでやることは考えておりませんで、ベストなパートナーと組んでいく。それに対してある程度、力技で開発を進めていかなければならないようなことになったら、当社よりもより力のある会社さんと組んでいくところは、柔軟に考えていきたいと考えております。

和田 [M]：よく理解できました。ありがとうございます。

武智 [M]：それではオンラインからご参加の、モルガン・スタンレー、李さん。よろしくお願いします。

李 [Q]：モルガン・スタンレーの李です。よろしくお願いします。ありがとうございます。2点、お願いします。

1点目が今回の上方修正で、R&D、SG&A、ともに減額されたと思います。両者ともに期ずれによるものなのかなと理解したのですが、この期ずれによるものは全て、来期にずれたと理解しておけばよろしいでしょうか。

中井 [M]：ご質問ありがとうございます。こちらも枝光より回答いたします。

枝光 [A]：はい、その理解で結構でございます。

李 [Q]：ありがとうございます。今回期ずれした丸々全てが、来期に発生すると考えておけばよろしいのでしょうか。

枝光 [A]：そのとおりです。

李 [Q]：分かりました、ありがとうございます。2 点目が新薬のところでは。競合、サレプタ社のエクソンスキップの薬剤も、フェーズ 3 でプライマリーエンドポイント未達となっていると。

このエクソンスキップの薬剤の失敗は、確か相次いでいる中、FDA がこの点、慎重になっていたりしないかが一つ、リスクとしてあるのかなと思っているんですけども、この点はいかがでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。実際に検証試験は当社のビルテプソもそうですし、サレプタ社の品目についても主要評価項目は達成しなかった状況でございますが、いろいろ多面的に分析をする中で、実際にエクソンスキッピング薬が有効性を発揮している層もあることもありますし。

当社としましては、実際に 301 試験が主要評価項目を達成しなかった理由としましては、やはり薬の問題というよりも試験デザインの問題だという点で、FDA には説明しております。FDA との話し合いも現在進行中ということですので、その辺りについては FDA から、サレプタ社のものもそうですし、当社のもので、市場もエクソンスキッピング薬に対して懐疑的で、これは承認に値しないようなことを判断しているわけではございません。

その点については、そこまで FDA が懐疑的になっているような状況ではないと、われわれは考えているということでございます。

李 [Q]：分かりました、ありがとうございます。最後に 1 点だけ、中計期間中の利益予想のところでは。5 月の本決算のときに別のアナリストの方から、27 年度のウプトラビの LOE の影響で、1 回利益が落ちて 28 年度からまた V 字回復といいますか、再成長に入れるんじゃないかと質問させていただきました。

その際、中井社長からは山もないと思っていると。25 年度がボトムで、26 年度からしっかり右肩に成長していくとおっしゃっていただきました。この考え方にまだ変更がないのか。CAP-1002 など RGX-121 などちょっと遅れていますので、この点、考え方に変更がないのか確認させてください。以上です。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。実際に 25 年度が底だというご案内を、5 月の発表のときにはしたかとは記憶しておりますが、実際に CAP-1002、ならびに RGX-121 の上市のタイミングが、それぞれ遅れるような点と、

もう一つは先ほどのご質問にもあったような、研究開発費がそのまま少しずれていくような点などを加味しますと、2026 年度もまだ予想はご案内していませんけれども、少しそのずれた分が影響するのかもしれないなとは考えております。その辺りも改めて、きちんと精査をした上でご案内できるかと思っております。

李 [Q]：ありがとうございます。いずれにせよ、26 年度がボトムで、それ以降はしっかり成長していくという考え方には変更がないと理解したんですけれども、よろしいでしょうか。

中井 [A]：はい。現在の事業の進み方を考えていますと、そう理解いただいてよろしいかと思います。

李 [M]：承知しました。ご丁寧にありがとうございます。私からは以上です。

武智 [M]：ジェフリーズ証券、山木田さん。よろしくお願いします。

山木田 [Q]：ジェフリーズ証券の山木田でございます。ありがとうございます。私からは 1 点だけ、確認だけさせていただきます。

ビルテプソの米国です。これは保険適用の更新審査が厳格化というところが結構、インパクトがあるんじゃないかなと思っているんですけれども、これって高額 DMD 治療薬、これからも伸びていくものはいっぱいあると思うので、全体としてはよりお金はかかってくることに、市場全体としてはなと思っています。

かつ御社のビルテプソの、これって確か、症状が進行してしまった人が償還されなくなってくるという話だったと理解しているんですけれども、症状が進行してくる人もどんどんどんどん、ビルテプソも伸びてきた薬ですので、だんだん増えてくるものだと思っています。

なのでこの影響が結構、大きくなってくるリスクはあるんじゃないかなと思っているんですけれども、それも加味した上で下期はやや伸びる、伸ばすことができるということでしょうか。

あとできれば来年以降、これはブレイクイーブンのところがあると思うんですけれども、ブレイクイーブンを過ぎて徐々に減少に向かっていくことは、リスクはどのぐらい考えたらいいか。その辺り、確認させていただけますでしょうか。

中井 [A]：ありがとうございます。どの辺りでビルテプソがピークアウトしていくのかというご質問かと受け取りました。

既にご案内したように、実際にビルテプソも発売から5年経ちまして、5年も経てば実際に病状が、患者さんによっては悪化した方は保険の償還対象にならないことで、脱落していくような事象も見られたと。見られているから、少し伸びがスローになったことはご案内しているとおりです。

それに加えてアップサイドの情報としましては、先ほどのご質問にもありましたように、遺伝子治療に乗っていた患者さんがこちらのほうにきているようなことと、併せていわば競合のエクソンスキッピング薬の患者さんからの、ビルテプソへのスイッチという症例も、われわれの新規獲得の中ではある一定割合いらっしゃると思います。

その割合がこれから増えていくんじゃないかと、先方の試験の結果などもございますので、そういったところをしっかりと、われわれも薬剤の優位性をアピールすることで、より成長させていきたいということで。あまり早期に、もう伸びないんですかという状況にならないように、引き続き成長させていきたいということで、われわれは考えているとお答えさせていただきます。

山木田 [Q]：ありがとうございます。成長のところはおっしゃっていただいたとおり、理解できる、期待を持っているんですけれども、減少のほうも織り込んだの下期の業績予想ということでよかったですか。これだけ確認させてください。

中井 [A]：ありがとうございます。そうですね。そうやって少し保険償還に時間がかかることも踏まえて、新規の獲得のペースが上がっていることと相殺して、引き続き伸びていくという読みから、下期の数字のご案内となったということでございます。

山木田 [M]：よく分かりました。ありがとうございます。私からは以上です。

武智 [M]：そのほかアナリスト、機関投資家の皆様、よろしいでしょうか。田中さん、よろしくお願いします。

田中 [Q]：すみません、もう1回お願いします。今回ご説明はなかったんですけれども、NS-035、福山型筋ジストロフィー、患者さんは日本だけかもしれないですが、1,000人から2,000人ぐらいいらっしゃるということで。

既に医師主導の治験の結果は発表済みで、あまり正確なデータを僕は見ているわけではないですが、良好な結果だったと聞いているんですけれども。

どういうふうこれから御社で企業主導の治験をやって、いつまでに上市したいとか、そこを教えてください。今回全然、上市計画のアップデートがなかったのですね。よろしくお願いします。

中井 [M]：ありがとうございます。NS-035 の開発計画については、研究開発の桑野よりご回答いたします。

桑野 [A]：ご質問ありがとうございます。ご指摘のように、われわれも医師主導治験で非常に良い結果を出してくださったなと思っております。

実際、継続試験はわれわれのほうでスポンサーとしてやっておりますし、次の相の治験はわれわれのほうで行いたいなと思っているところですが、その部分はまたしかるべきときに、詳細についてはご発表できるときがあるかなと思います。前向きに進めたいなと考えております。

田中 [Q]：患者数から考えれば、日本のビルテプソよりも、あまり市場、市場っていうのはいやですけども、患者さんの数は全然多いので、もっと速く進めるべきなんじゃないですか。

桑野 [A]：ありがとうございます。迅速に進めるべく、対応しております。実際、われわれの日本新薬という名前が、日本人の薬は日本人でつくりたいという理念がございますので、まさしくこういう疾患の薬をつくるのは、われわれの使命だと思っております。ありがとうございます。

武智 [M]：それでは、ここから報道関係者の方からのご質問をお受けいたします。ご質問される際には、会社名とお名前を述べられた上、ご発言くださいますようお願いいたします。いかがでしょうか。

下村 [Q]：じほう日刊薬業の下村と申します。海外売上高についてお伺いしたいです。前期の実績と売上対比の比率、あと今期の海外売上高と売上対比の比率を教えてください。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。前期と今期の上半期同士での、海外売上高比率。

下村 [Q]：あと実額ですね。

中井 [A]：実額ですね。というご質問ですね。こちらにつきましては事務局、いけますか。

武智 [M]：後ほどご回答させていただきます。

下村 [Q]：それを踏まえてなんですけれども、前回の中計の中で 28 年度、最終年度 45%程度に引き上げたいというお話があったかと思うんですけれども、今の進捗です。割合が分からないので分からないのですが、その達成度合い、達成確度みたいなところはどうかを、教えていただきたいんですけれども。

中井 [A]：ありがとうございます。それこそ具体的な数字は、事務局より後ほど回答するというところでございますが、現在順調に海外売上高も成長しているところでございますし、海外売上高の比

率も上がっている状況で、45%を達成するという数字に対して、目標に対しては、順調に推移しているということで、ご回答できるかと思います。

下村 [Q]：先ほどのお話、海外の状況、米国の状況なんかもあったので、ちょっと数字的に変化があるかなというのもあったんですけども、そこは割と、そこを考えても達成できるだろうという認識でよろしいですか。

中井 [A]：ありがとうございます。実際にこれから発売が予定されている品目として、RGX-121 ですか CAP-1002 という、アメリカで発売を迎えている品目が結構、金額としても大きな貢献をしてくると考えております。

次年度以降はそれらが上市することで、海外売上が大きく成長していくと考えているということでございます。

下村 [Q]：もう 1 点だけ、お願いします。長期収載品の関係で、選定療養のあれが入ったと思うんですけども、その延長についてはもうちょっと詳しく教えていただければと思います。

売上収益の内訳のところ、増減要因のところで挙げられていますが、具体的にどのぐらいの感じだったかを教えていただければと思います。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。長期収載品の当社の売上全体に占める割合は、非常に小さいのが実情でございます。

ですのでそういった長期収載品、例えばザルティアなど、前立腺肥大症の、ああいうものは選定療養の影響を実際に受けてはいるんですけども、会社の数字全体に対してのインパクトは、それほどでもないということで。特に選定療養が、大きく企業業績に影響を与えているということではないということでございます。

下村 [M]：分かりました。

武智 [M]：そのほか、いかがでしょうか。

坪倉 [Q]：化学工業日報の坪倉と申します。少し確認をさせていただきたいのですが。23 ページの資料のところにございます医薬品の内訳です。

ビルテプソとビキセオスの市場環境の影響により下方修正という記載については、先ほどご説明のあったビルテプソの脱落、あとはビキセオスの医薬品としての利点の浸透状況の少し遅れ、これが市場環境の影響になるのでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。こちらの 23 ページ目のスライド、表の上に書いておりますビルテプソ米国、およびビキセオスは市場環境の影響により、はい。先ほどの質疑にてお答えしたとおりでございます。

ビルテプソにつきましては先ほどもご説明したように脱落の例、保険償還が少し手間取ったというところが原因となっていることで、下方修正しています。その下方修正の内容は上期未達だった分だけ下方修正しております、下期は先ほどもお答えしたように、また当初計画どおりの数字が達成できるだろうと見込んでいるということでございます。

ビキセオスにつきましても先ほどの質疑でもございましたが、強力化学療法が競合なんですけれども、そこに対してビキセオスの有用性が、十分に先生方に伝わっていなかったような反省点がございます。

そこら辺を改めて、当社の営業部隊がそこを注力して巻き返していくことで、できるだけ下方修正の額は下げていきたいということですが、足元の状況を見て、その分を下方修正させていただいているということでございます。

坪倉 [Q]：分かりました、ありがとうございます。あともう 1 点です。FDA との協議に関連しまして、米国政権での FDA の人員の削減であったりとか、政府の停止というところが一部影響しているような会社さんの声も聞いているんですけれども、御社の協議の状況に、こういった肌感覚で影響が出ているかを教えていただけますでしょうか。

中井 [A]：ありがとうございます。実際にそういう FDA の審査のスピードがスローになっているような状況は、当社のパートナーが申請している品目に限っては見てはいないです。

今回、そういう承認日が後ろ倒しになったですとか、そういうものは全て審査の過程の中で、さらに詳しい情報を、データを出しなさいとかいう当局からの求めに応じて対応しているものです。そういう FDA の人員が削減になりましたとか、そういうものが影響を与えているとは感じ取ってはいないです。

坪倉 [M]：分かりました。ありがとうございました。

武智 [M]：では、次の質問を最後とさせていただきます。薬事日報の岡田さん、よろしくお願いします。

岡田 [Q]：お世話になります。薬事日報の岡田と申します。NS Pharma の体制ですけれども、ほぼ体制構築完了というところで 160 名で、さらに 10 名コマーシャル追加とおっしゃられていたと思うんですけれども、170 名体制でほぼ構築できたという認識でよろしいでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。この2品目を CAP-1002、および RGX-121 の上市を迎えるにあたって、このプラス 10 名の計 170 名のメンバーで大丈夫だと考えております。

実際にコマーシャルとメディカルのチーム、現状では 80 名ですが、これプラス 10 名の人たちがそういうビルテプソ、CAP-1002、RGX-121 の販売活動に携わっています。160、10 名足して 170、それから 80 名、90 名を引いた数が、いわゆるアメリカで開発をしているメンバーでしたり、ビジネスデベロップメント、導入活動を行っているメンバー。また、あとは管理間接部門という組織となっております。

ですので、この販売準備の状況という点でいいますと、プラス 10 名で体制構築は完了だにご理解いただければと考えております。

岡田 [Q]：ありがとうございます。あと既に出ていたり、聞き漏らしていたら申し訳ないんですけれども、CAP-1002 と RGX-121 のピークの売上見込みであったりとか、その辺りをお伺いできますでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。ピーク時の売上については、具体的な数字はまだ皆様には開示させていただいている状況ではないことは、ご理解いただければと思います。

CAP-1002、期待適応症が DMD 心筋症で今現在、進めております。DMD 心筋症という点からいたしますと、非常に大きな数の患者さんが対象になると、われわれとしては考えています。

具体的にいいますと、アメリカでの DMD の患者さんが 1 万 5,000 人。1 万 5,000 人のうち心臓になんらかの障害をというか、機能が低下している患者さんが、そのうちの半分ぐらいだといわれております。

実際にその 1 万 5,000 の半分のうち、この薬剤がそれこそ適応症がどのようにつくのか、DMD 心筋症の患者さん全員に使えるのかという点については、それこそ FDA との交渉の結果次第だとは理解しておりますが、マックス 1 万 5,000 の半分、7,500 の中からどこまでこの薬剤の対象になるのかを今、精査、また FDA との協議を進めていくことになります。

一方、RGX-121 につきましては、こちらはムコ多糖症Ⅱ型の患者さんは、米国では大体 500 人ぐらいといわれております。こちらは今現在、使われている薬剤などがございますので、その 500 人の中からどこまでシェアを取れるのかということ次第で、ピーク時の売上も変わってくるということですが。

本剤の特徴としましては生後 4 か月から使えることで、競合はもう少し高齢の患者さんから使われる薬剤です。ですのでムコ多糖症Ⅱ型の診断をされた、新生児検査とかなどでそういう治療対象と

なれば、いち早く使われていく薬剤であると期待しているということで、ご了解いただければ思っております。ありがとうございます。

岡田 [Q]：分かりました、ありがとうございます。最後に確認だけ。CAP-1002、26 年上市目標とおっしゃられていましたけれども、RGX-121 も 26 年目標で間違いないでしょうか。

中井 [A]：ありがとうございます。実際に審査完了目標日が 2026 年の 2 月の 8 日でございます。そこから販売用の少し準備を整えて、そこからできるだけ早期に発売していきたいということで、2026 年度ですね。4 月早々にはとは今のところ考えているということでございます。

岡田 [M]：分かりました。ありがとうございました。

武智 [M]：それでは、以上をもちまして日本新薬株式会社、2025 年度第 2 四半期決算説明会を修了いたします。

本日はご参加いただき、誠にありがとうございました。それでは、失礼いたします。

[了]
