

2025年度 第3四半期 決算説明会

2026年2月9日
日本新薬株式会社

Agenda

01

- 2025年度第3四半期の業績と2025年度の業績見通し
- CAP-1002 アップデート
- RGX-121 アップデート

代表取締役社長

中井 亨

02

- 研究開発の進捗状況
- トピックス

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

2025年度第3四半期の業績と 2025年度の業績見通し

代表取締役社長 **中井 亨**

2025年度 第3四半期の業績

売上収益：4期連続 増収（医薬品・機能食品事業ともに増収）

営業利益：減益（販管費の増加等）

2025年度の業績見通し

売上収益：20億円上方修正（Q4想定為替レートの変更等）

営業利益：変更なし（研究開発費の増加等）

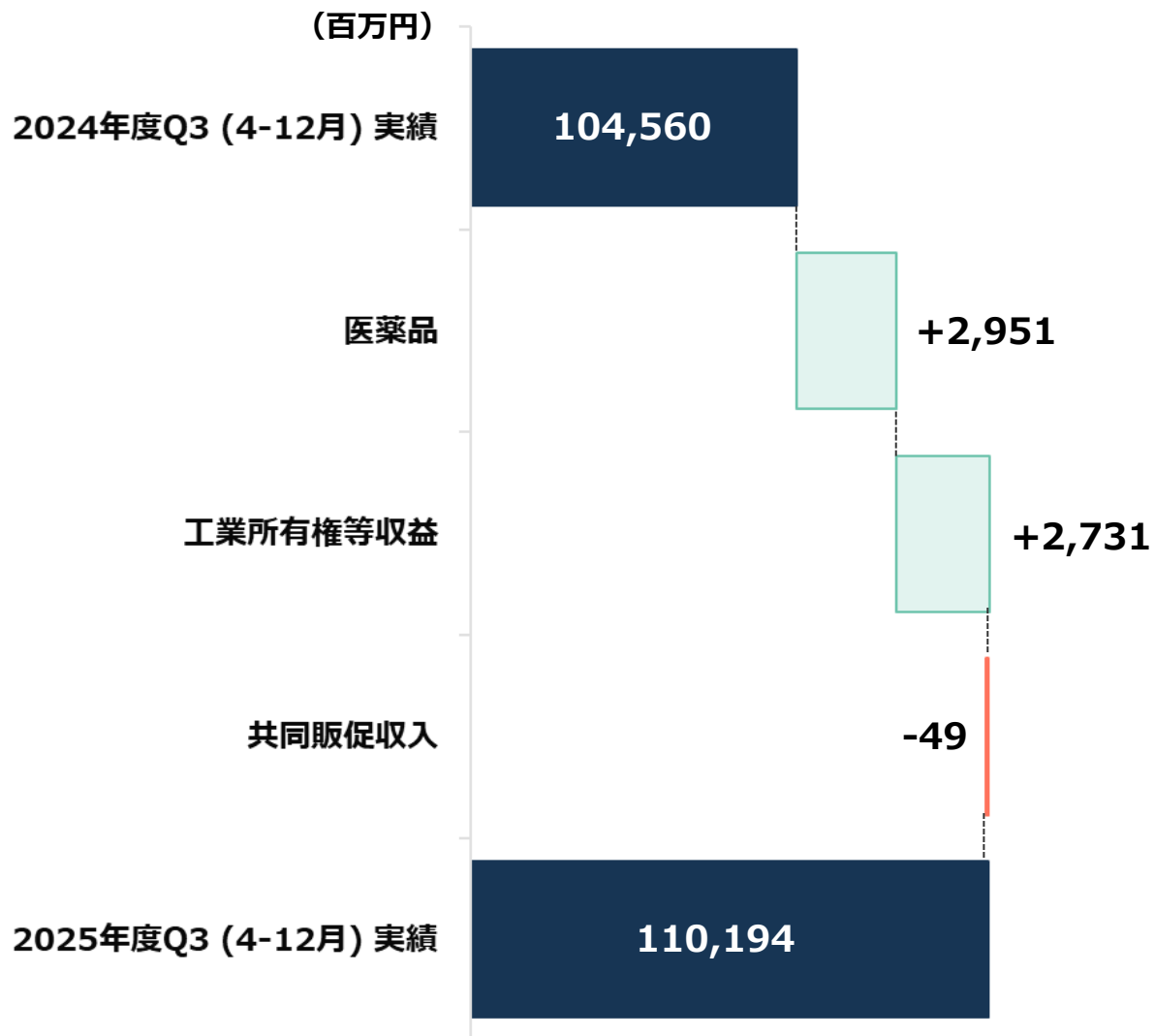
2025年度 Q3（4-12月）概要

- ・ 医薬品・機能食品事業共に増収し、4期連続の増収
- ・ 利益面では販管費の増加等により、営業利益・最終利益ともに減益

(百万円)	2024年度Q3（4-12月）		2025年度Q3（4-12月）		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	121,320	100.0%	127,135	100.0%	+5,815	+4.8%
（医薬品）	(104,560)	(86.2%)	(110,194)	(86.7%)	(+5,633)	(+5.4%)
（機能食品）	(16,759)	(13.8%)	(16,941)	(13.3%)	(+182)	(+1.1%)
売上原価	38,810	32.0%	42,011	33.0%	+3,201	+8.2%
販売費及び一般管理費	27,562	22.7%	31,704	24.9%	+4,141	+15.0%
研究開発費	23,547	19.4%	23,033	18.1%	-514	-2.2%
その他の収益	1,725	1.4%	2,298	1.8%	+573	+33.3%
（為替差益）	(1,058)	(0.9%)	(1,742)	(1.4%)	(+683)	(+64.6%)
その他の費用	371	0.3%	351	0.4%	-20	-5.5%
営業利益	32,752	27.0%	32,333	25.4%	-419	-1.3%
金融収益	774	0.6%	1,014	0.8%	+239	+31.0%
金融費用	89	0.1%	120	0.1%	+31	+35.3%
税引前四半期利益	33,438	27.6%	33,227	26.1%	-210	-0.6%
法人所得税費用等	4,885	4.0%	7,382	5.8%	+2,496	+51.1%
親会社の所有者に帰属する四半期利益	28,552	23.5%	25,844	20.3%	-2,707	-9.5%

医薬品売上収益の内訳

- ・ 薬価改定や後発品の影響が続く
- ・ ウプ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伸長に加えて、アーリーダも寄与



● 医薬品 66,308百万円
(対前年同期比 +2,951百万円 +4.7%)

- ✓ フィンテプラ、ウプトラビ、ビキセオス等の伸長
- ✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーションにより、当社で売上計上¹

● 工業所有権等収益 36,802百万円
(対前年同期比 +2,731百万円 +8.0%)

- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長

● 共同販促収入 7,082百万円
(対前年同期比 -49百万円 -0.7%)

- ✓ アーリーダが自社売上計上となったものの、ユバンシは伸長

1. 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、2025年度下期以降は当社の製品売上および原価に計上されるようになった

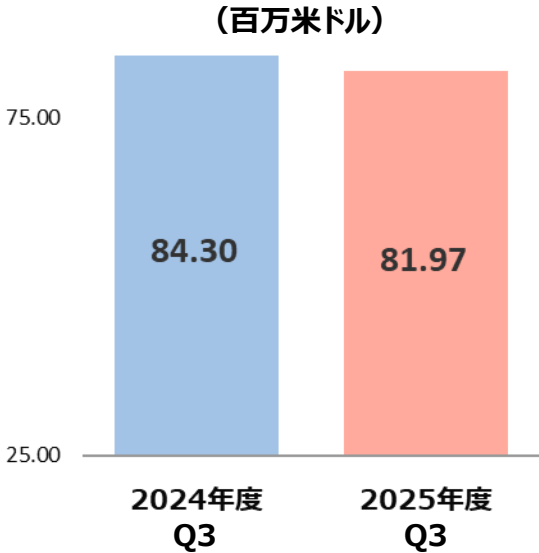
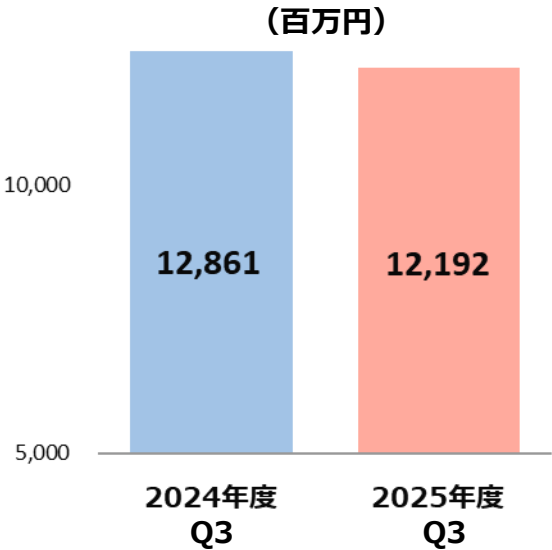
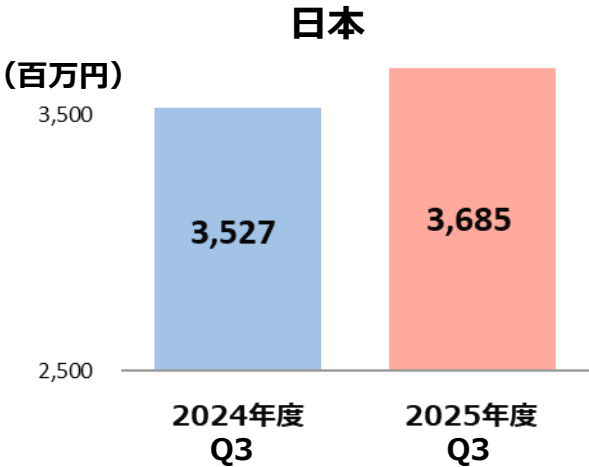
ビルテプソの売上

- ・ 米国では前年同期比減少
- ・ 投与患者層の若年化に伴い、一人当たりの平均投与量が減少

(百万円)	2024年度 Q3実績	2025年度 Q3実績	差異	増減率	2025年度 通期予想	2025年度Q3実績についてのコメント
日本	3,527	3,685	+157	+4.5%	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 ✓ 低年齢のエクソン53スキップ対象患者の早期発見・早期治療介入に取り組んでいる
米国 (百万米ドル)	12,861 (84.30)	12,192 (81.97)	-669 (-2.33)	-5.2% (-2.8%)	16,400 (110.02)	✓ 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。患者数の伸びはフラット化 ✓ 投与患者層の若年化に伴い、一人当たりの平均投与量が減少
計	16,389	15,877	-512	-3.1%	21,200	

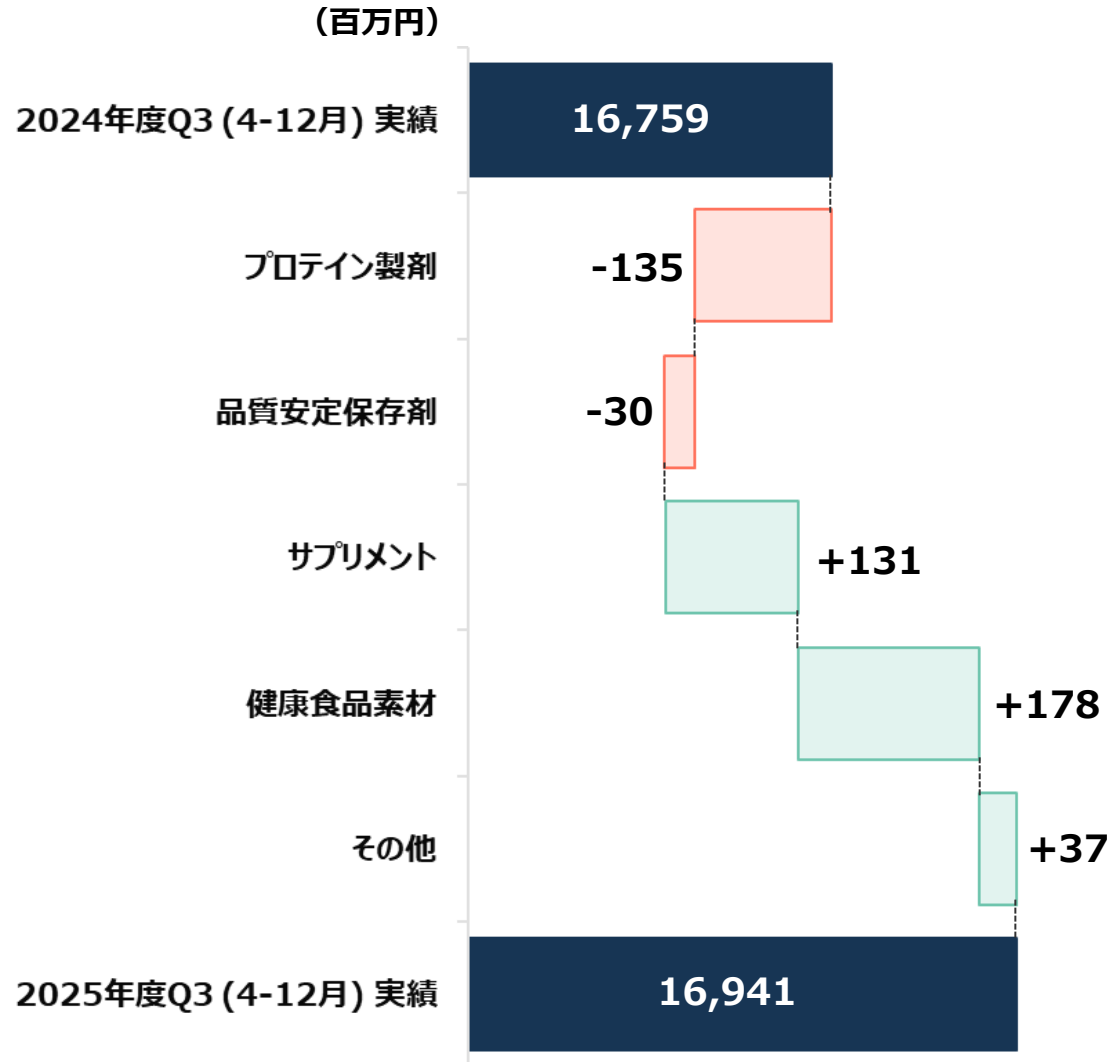
為替レート	2024年度 Q3実績	2025年度 Q3実績	2025年度 Q4想定
円 (対米ドル)	152.6	148.7	150.0

米国



機能食品売上収益の内訳

- ・ プロテイン製剤、品質安定保存剤は厳しい市場環境により減少
- ・ 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** 10,420百万円
(対前年同期比 -135百万円 -1.3%)

- ✓ 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** 2,546百万円
(対前年同期比 -30百万円 -1.2%)

- ✓ 物価高の影響で買い控えが生じ、ユーザーの生産量が減少

● **サプリメント** 2,025百万円
(対前年同期比 +131百万円 +7.0%)

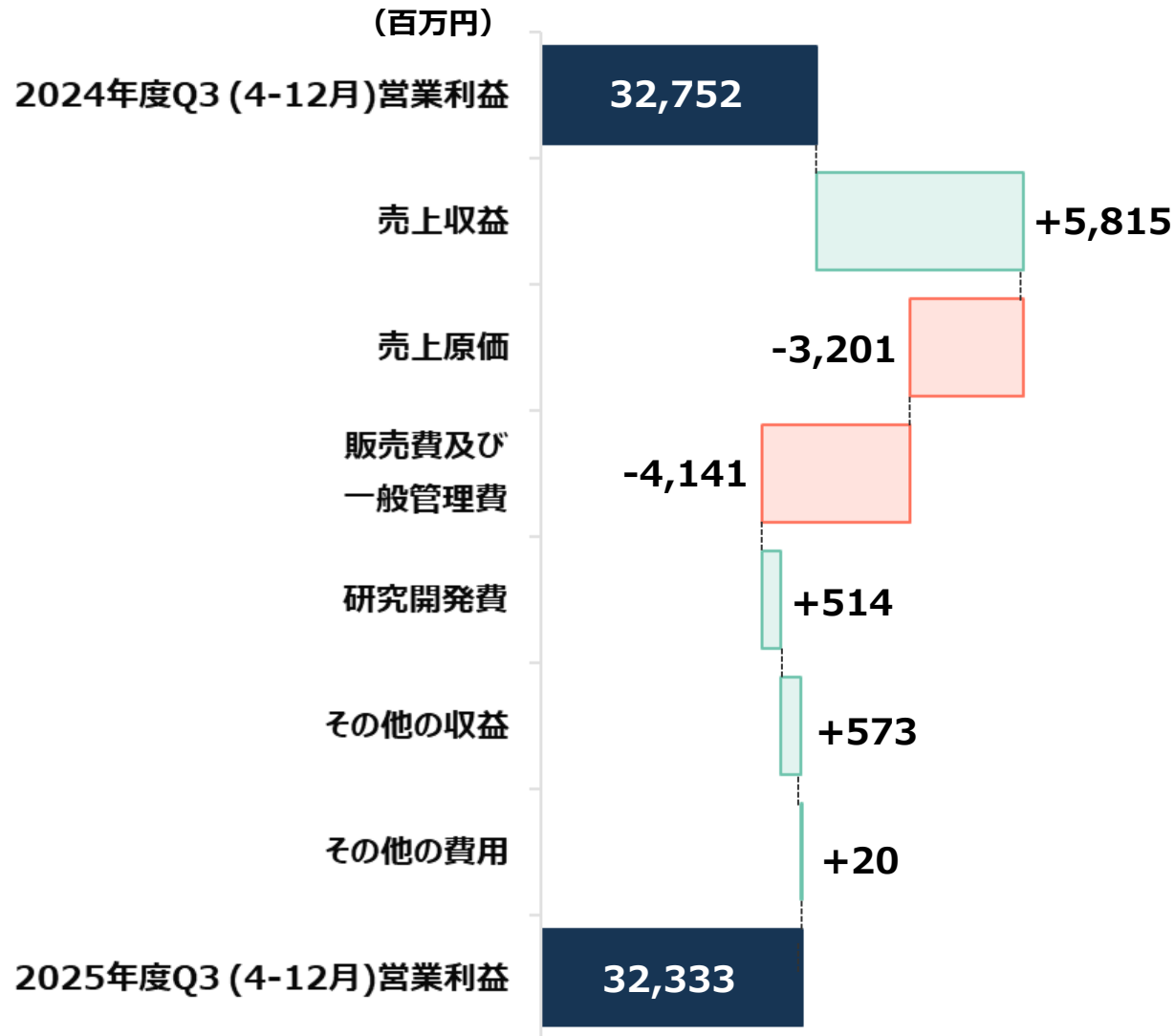
- ✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長

● **健康食品素材** 927百万円
(対前年同期比 +178百万円 +23.8%)

- ✓ 美容関連製品の需要が拡大

営業利益

・ 販管費の増加等に伴い、減益



●売上収益 127,135百万円
(対前年同期比 +5,815百万円 +4.8%)

- ✓ フィンテプラ、ウプトラビ、ビキセオス等の伸長
- ✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーションにより、当社で売上計上
- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長

●売上原価 42,011百万円
(対前年同期比 +3,201百万円 +8.2%)
原価率 33.0% : 1.0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 31,704百万円
(対前年同期比 +4,141百万円 +15.0%)

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

●研開費 23,033百万円
(対前年同期比 -514百万円 -2.2%)

- ✓ 委託研究費や治験薬製造費用の減少等

●その他の収益 2,298百万円
(対前年同期比 +573百万円 +33.3%)

- ✓ 為替差益の増加

業績予想の修正

- ・ Q4の為替レートの想定を1ドル140円から150円に変更したこと等により、売上収益を20億円上方修正
- ・ 研究開発費の増加等により、利益は据え置き

(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	168,000	170,000	+2,000	+1.2%
（医薬品）	(145,000)	(147,500)	(+2,500)	(+1.7%)
（機能食品）	(23,000)	(22,500)	(-500)	(-2.2%)
売上原価	57,000	57,000	-	-
販売費及び一般管理費	43,000	43,500	+500	+1.2%
研究開発費	35,000	37,000	+2,000	+5.7%
その他の収益	1,000	1,000	-	-
その他の費用	1,000	500	-500	-50.0%
営業利益	33,000	33,000	-	-
金融収益	900	1,000	+100	+11.1%
金融費用	200	300	+100	+50.0%
税引前利益	33,700	33,700	-	-
法人所得税費用等	7,400	7,400	-	-
親会社の所有者に帰属する当期利益	26,300	26,300	-	-

●売上収益 170,000百万円
（前回予想比+2,000百万円 +1.2%）

- ✓ ウプトラビのロイヤリティ収入が円安の寄与も含め
強含みで推移

●販売費及び一般管理費 43,500百万円
（前回予想比 +500百万円 +1.2%）

- ✓ 米国の新製品発売準備における費用の増加

●研究開発費 37,000百万円
（前回予想比 +2,000百万円 +5.7%）

- ✓ 委託研究費や核酸治験薬製造費用の増加

*2025年11月14日 2025年度第2四半期決算発表

業績予想における2025年度Q4の為替レートは1ドル=150円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約1.2億円増加を想定、営業利益が約2.4億円増加を想定。

予想損益計算書（連結）

							為替レート（円、対米ドル）		
(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率	2024年度	2025年度	2025年度
	実績	売上比	予想	売上比			Q3実績	Q3実績	Q4想定
売上収益	160,232	100.0%	170,000	100.0%	+9,767	+6.1%	152.6	148.7	150.0
（医薬品）	(138,654)	(86.5%)	(147,500)	(86.8%)	(+8,845)	(+6.4%)			
（機能食品）	(21,577)	(13.5%)	(22,500)	(13.2%)	(+922)	(+4.3%)			
売上原価	51,116	31.9%	57,000	33.5%	+5,883	+11.5%			
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	43,500	25.6%	+5,488	+14.4%			
研究開発費	34,341	21.4%	37,000	21.8%	+2,658	+7.7%			
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%	500	0.3%	-1,686	-77.1%			
営業利益	35,450	22.1%	33,000	19.4%	-2,450	-6.9%			
金融収益	830	0.5%	1,000	0.6%	+169	+20.4%			
金融費用	145	0.0%	300	0.2%	+154	+106.3%			
税引前利益	36,135	22.6%	33,700	19.8%	-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	15.5%	-6,258	-19.2%			

業績予想における2025年度Q4の為替レートは1ドル=150円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約1.2億円増加を想定、営業利益が約2.4億円増加を想定。

CAP-1002 (deramiocel) アップデート

CAP-1002 (deramioce) アップデート

January 20, 2026



Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramioce BLA Following FDA Review of HOPE-3 Topline Data

- FDA has requested the HOPE-3 clinical study report (CSR) as part of the BLA review process
- Company expects to submit updates to the BLA in February 2026 to support continued FDA review

SAN DIEGO, Jan. 20, 2026 (GLOBE NEWSWIRE) -- [Capricor Therapeutics](#) (NASDAQ: CAPR), a biotechnology company developing transformative cell and exosome-based therapeutics for the treatment of rare diseases, today provided a regulatory update regarding its Biologics License Application (BLA) for Deramioce, the Company's investigational first-in-class cell therapy for the treatment of Duchenne muscular dystrophy (DMD).

As previously disclosed, the Company provided [topline results](#) from its Phase 3 HOPE-3 clinical study to the U.S. Food and Drug Administration (FDA) in late 2025. Following its review of these data, the FDA has formally requested the full HOPE-3 clinical study report (CSR) and supporting data to address the Complete Response Letter (CRL). The FDA did not request any additional clinical studies or new patient data as part of this request.

Preparation of the HOPE-3 CSR is well underway, and the Company plans to submit the requested materials to the FDA in February 2026. The Company expects that this submission will address the items outlined in the CRL and support continued review of the BLA, including the assignment of a new Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) target action date.

"We are actively engaging with the FDA in order to facilitate an efficient review of the HOPE-3 data that directly address the issues raised in the CRL we received in July 2025. We were pleased that the FDA requested the HOPE-3 clinical study report, as this is an expected and appropriate next step following their initial review of the topline data," said Linda Marbán, Ph.D., Chief Executive Officer of Capricor. "The HOPE-3 results demonstrated statistically significant and clinically meaningful improvements in both skeletal muscle and cardiac function—key drivers of disease progression and long-term outcomes in Duchenne. These findings build on more than a decade of consistent clinical evidence and reinforce our confidence in Deramioce's potential. Our near-term priority is to address the FDA's request and continue working collaboratively so that patients with late-stage DMD, who currently have very limited treatment options, may gain access to Deramioce as soon as possible."

- 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、昨年末の第Ⅲ相試験（HOPE-3）のトップラインデータ¹提出後の状況について、開示した
- 同社はHOPE-3試験の総括報告書（CSR²）を2025年7月のCRL³への回答として、2026年2月に提出する予定
- これによって、FDAによる現行のBLA⁴の審査が再開される見込み

1. 臨床試験が事前に設定された主要評価項目に達したか否かを評価するための結果のこと。試験終了後に最初に入手できる、主要評価項目（エンドポイント）等の達成可否を示した主要な速報データ
2. CSR（Clinical Study Report）：試験が終了したときに臨床及び統計上の記述、提示及び分析内容を一つの報告書に統合した詳細報告書
3. CRL(Complete Response Letter)：FDAが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、審査完了報告通知
4. BLA (Biologics License Application)：生物製剤承認申請

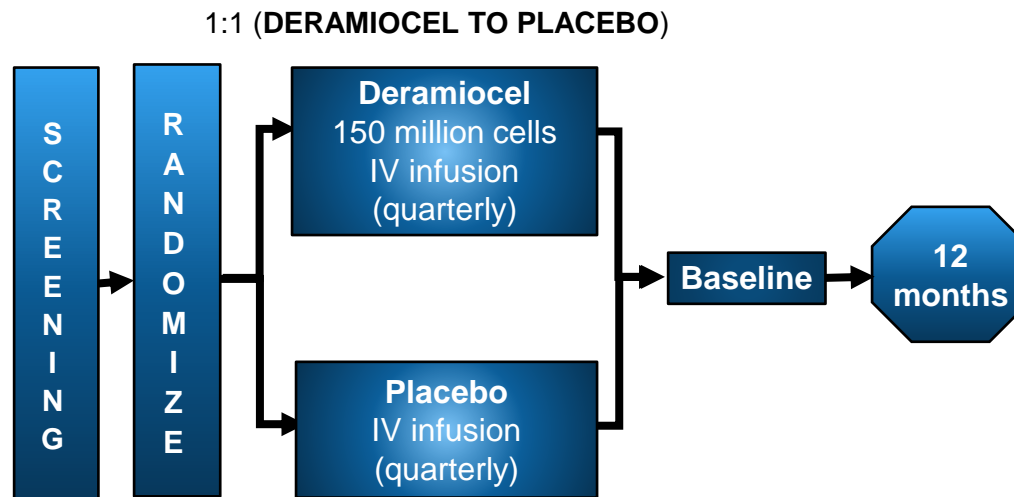
出所：2026年1月20日 [カプリコール社開示](#)

CAP-1002 (deramiocele) HOPE-3 : 試験デザイン

- 第Ⅲ相試験（HOPE-3）は、ランダム化二重盲検プラセボ比較試験で主要評価項目が上肢機能、主要な副次評価項目が心機能

HOPE-3 Pivotal Phase 3 Trial

Overview



1. Type-I error controlled
2. GST (Global Statistical Test)
3. LGE (late gadolinium-enhancement)

HOPE - 3

DUCHENNE CLINICAL TRIAL

Design & Endpoints

- ❖ Phase 3: randomized (1:1), double-blind, placebo-controlled study
- ❖ **N = 106 subjects randomized**
- ❖ Conducted in the United States at 20 clinical sites
- ❖ **Primary efficacy endpoint¹:** PUL v2.0
skeletal muscle assessment
- ❖ **Key secondary endpoint¹:** left ventricular fraction (LVEF)
cardiac assessment
- ❖ **Other secondary endpoints¹:** mid-level PUL v.2.0, GST² and LGE³

CAP-1002 (deramiocel) HOPE-3 Topline Data : 試験参加者概要

- 10歳以上の患者が組み入れられ、実薬群、プラセボ群の両方において、約85%が歩行不能患者
- 約75%の患者が心筋症を患っていた

HOPE-3: Study Demographics

Baseline Demographics	Placebo (n=52)	Deramiocel (n=54)	Overall (n=106) ¹
Age (years)			
N	52	54	106
Mean (SD)	14.6 (2.95)	15.4 (3.10)	15.0 (3.04)
Median	14	15	15
Min, Max	10, 22	10, 22	10, 22
PUL v2.0 entry item score			
2,3	23 (44.2)	25 (46.3)	48 (45.3)
4,5,6	29 (55.8)	29 (53.7)	58 (54.7)
Diagnosed cardiomyopathy²			
No	14 (26.9)	13 (24.1)	27 (25.5)
Yes	38 (73.1)	41 (75.9)	79 (74.5)
Baseline LVEF%			
n	46	45	91
Mean (SD)	59.303 (6.108)	55.345 (7.743)	57.346 (7.206)
Median	59.309	55.892	57.532
Min, Max	47.395, 73.981	36.537, 71.112	36.537, 73.981
Ambulatory status			
Non-ambulatory	44 (84.6)	46 (85.2)	90 (84.9)
Ambulatory	8 (15.4)	8 (14.8)	16 (15.1)

¹One subject enrolled but dropped out prior to baseline assessment (n=105)

²Updated as of Feb. 2026; subgroup: 64 of 79 patients with centrally reviewed and evaluable cardiac MRI LVEF assessments at baseline and 12 months

CAP-1002 (deramiocel) HOPE-3 Topline Data : 有効性

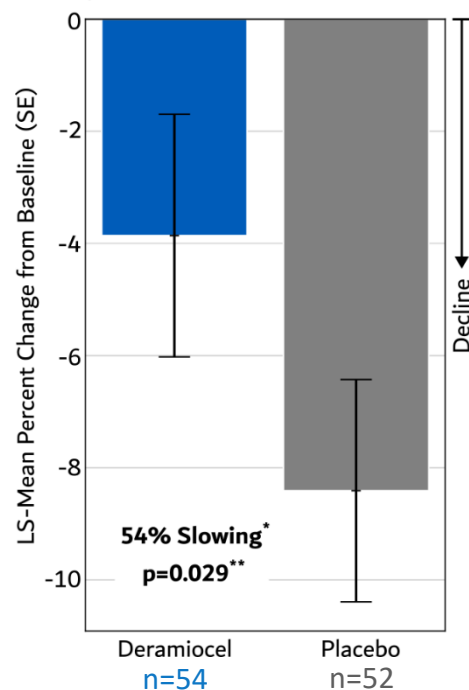
- 第Ⅲ相試験（HOPE-3）において、主要評価項目である上肢機能評価（PUL v2.0）および重要な副次評価項目である心機能指標（左室駆出率：LVEF）で統計学的有意差を確認（ $p=0.029$ および $p=0.041$ ）

HOPE-3: Topline Efficacy Results

Primary Endpoint Met with Statistical Significance Achieved in All Type-1 Error Controlled Secondary Endpoints

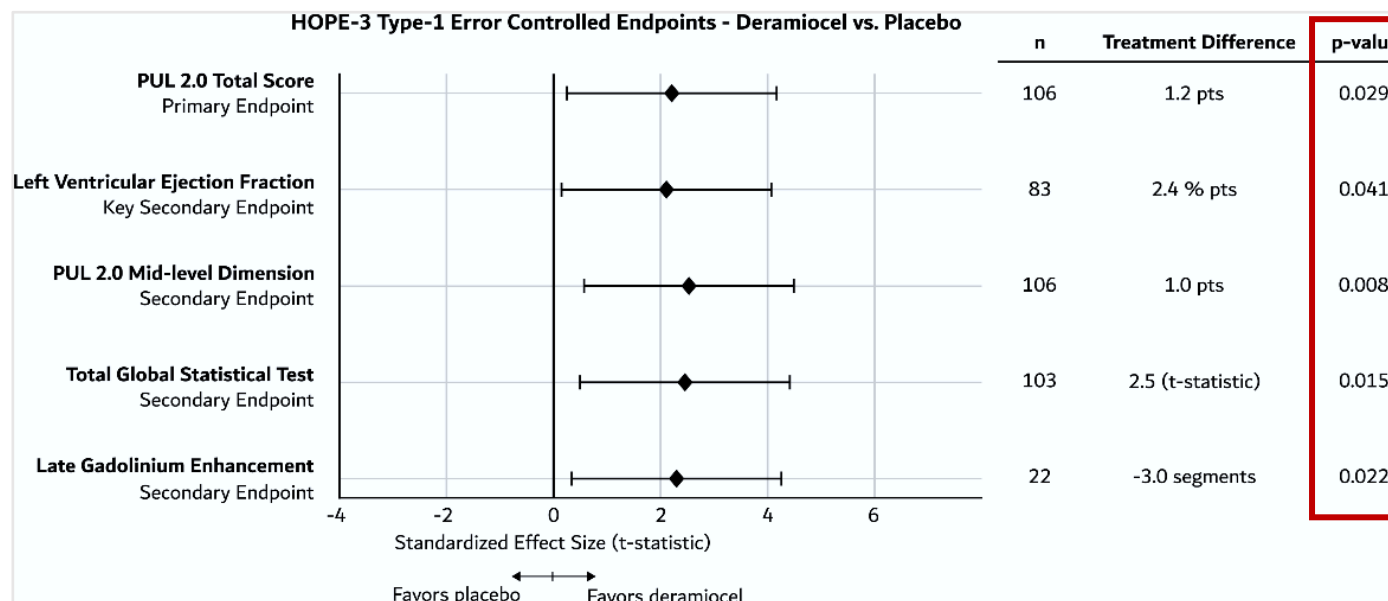
PUL 2.0 Total Score - Month 12

Primary Endpoint



*LS-Mean difference = 4.55 percentage point (1.2 -point difference on the PUL scale)

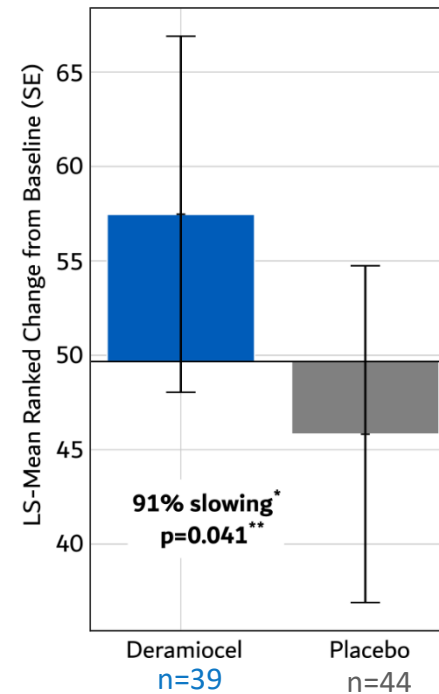
** Based on prespecified repeated measures model using percent change from baseline



HOPE-3: Topline Cardiac Efficacy Results

Left Ventricular Ejection Fraction

Left Ventricular Ejection Fraction - Month 12
Key Secondary - ITT Population



* LS-mean difference = 11.65 ranks (2.4 percentage point difference in LVEF)

** Based on prespecified rank ANCOVA model

LVEF: n reflects the number of patients in the ITT population with centrally reviewed and evaluable cardiac MRI LVEF assessments at baseline and 12 months (n=83)

CAP-1002 (deramiocel) HOPE-3 Topline Data : 安全性

- これまでの臨床試験の結果と一致する良好な安全性および忍容性プロファイルを維持

HOPE-3: Safety Profile Results

Overview	Placebo (n=52), n (%)	Deramiocel (n=53), n (%)	Overall (n=105 ¹), n (%)
Any TEAEs	43 (82.7)	50 (94.3)	93 (88.6)
TEAEs related to IP or administration procedure	19 (36.5)	44 (83.0)	63 (60.0)
TEAEs related to IP	16 (30.8)	44 (83.0)	60 (57.1)
TEAEs related to administration procedure	9 (17.3)	23 (43.4)	32 (30.5)
TEAEs related to IP or administration procedure by maximum severity			
Mild (grade 1)	15 (28.8)	19 (35.8)	34 (32.4)
Moderate (grade 2)	3 (5.8)	25 (47.2)	28 (26.7)
Severe (grade 3)	0	0	0
Life-threatening (grade 4)	1 (1.9)	0	1 (1.0)
Fatal (grade 5)	0	0	0
TEAEs leading to death	0	0	0
Any serious TEAEs	5 (9.6)	1 (1.9)	6 (5.7)
Serious TEAEs related to IP or administration procedure	1 (1.9)	1 (1.9)	2 (1.9)

¹ Safety population (n=105)

RGX-121 (clemidsogene lanparvovec) アップデート

NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2026 年 1 月 29 日

日本新薬株式会社

広報部

各位

REGENXBIO 社のムコ多糖症治療薬に関する規制当局対応の最新情報についてのお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）は、ムコ多糖症治療薬 RGX-111 および RGX-121 について、REGENXBIO Inc.（本社：米国メリーランド州ロックビル、最高経営責任者（CEO）：Curran M. Simpson、以下「REGENXBIO 社」）が米国食品医薬品局（FDA）より、臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を受けたことをご知らせいたします。

詳細につきましては、REGENXBIO 社からのプレスリリースをご確認ください。

<https://ir.regenxbio.com/news-releases/news-release-details/regenxbio-announces-regulatory-update-ultra-rare-mps-programs>

RGX-111 および RGX-121 は、REGENXBIO 社がそれぞれムコ多糖症Ⅰ型（MPSⅠ、ハラー症候群）およびムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ、ハンター症候群）の治療を目的として開発している遺伝子治療薬です。なお、RGX-121 は FDA において 2025 年 5 月に生物学的製剤承認申請（BLA）が受理され、現在、審査中です。

当社は、2025 年 1 月に米国における独占的販売権と日本を含むアジアにおける独占的開発販売権を REGENXBIO 社から取得しています。今後、米国子会社である NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が販売・販促活動を実施する予定です。

REGENXBIO Inc. について

REGENXBIO 社は、遺伝子治療による疾患の治療によって人々の生活の改善を目指すバイオテクノロジー企業です。2009 年の設立以来、REGENXBIO 社はアデノ随伴ウイルスを用いた革新的な遺伝子治療薬開発を行っています。詳細については、www.regenxbio.com をご覧ください。

以上

出所：2026年1月29日 [会社プレスリリース](#)

研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当 **桑野 敬市**

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11月14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 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	・ 301試験報告書はFDAがレビュー継続中 ・ 303試験のプロトコルについてFDAへ照会中	2026年1月
承認	NS-401 (タグラキソフスプ)	エルゾンリス	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2025年12月
適応追加	ACT-064992 (マシテンタン)	オプスミット	Johnson & Johnsonによる小児の肺動脈性肺高血圧症に対する承認取得	2025年12月
適応追加	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	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 (セレキシパグ)	ウプトラビ	ウプトラビ錠小児用0.05mg	2025年3月
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型 FDAより臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を受けた	2026年1月（米国）
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症 第Ⅲ相試験（HOPE-3）トップラインデータを公表	2025年12月（米国）
電子添文改訂	GA101 (オビヌツズマブ)	ガザイバ	未治療の慢性リンパ性白血病に対してベネトクラクスとの併用可能に	2025年11月
PⅢ試験			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 (フェンフルラミン塩酸塩)	—	ユーシービー社が、CDKL5欠損症を対象としたグローバル第Ⅲ相試験において、主要評価項目の達成を発表	2025年6月
PⅠ試験開始	NS-245	—	炎症性疾患	2025年12月

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11月14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
共創プロジェクト	－	－	株式会社FRONTEOとAI技術を活用した標的探索に関する共創プロジェクトを開始	2025年12月
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）
学会発表	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	－	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

エルゾンリス：芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍（BPDCN）治療剤

- 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍（BPDCN）は、形質細胞様樹状細胞（pDC）に由来する、予後不良な希少造血器腫瘍
- 診断時の年齢中央値は70歳前後で、患者数の極めて少ない希少疾患
- 現在、国内にBPDCNの適応を有する薬剤は存在せず、また標準的な治療は存在しない。既存治療では生存期間中央値は7～13か月と予後不良であり、また強力化学療法が実施可能な患者は限られているため、新たな治療選択肢が必要とされている

製品概要	
開発番号	NS-401
一般名	タグラキソフスプ（遺伝子組換え）
製品名	エルゾンリス®点滴静注1000μg
製造販売承認取得	2025年12月22日
適応症	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍（BPDCN）
オリジン	伊メナリーニ・グループ 40以上の国で承認されており、日本は2021年3月に日本新薬が導入

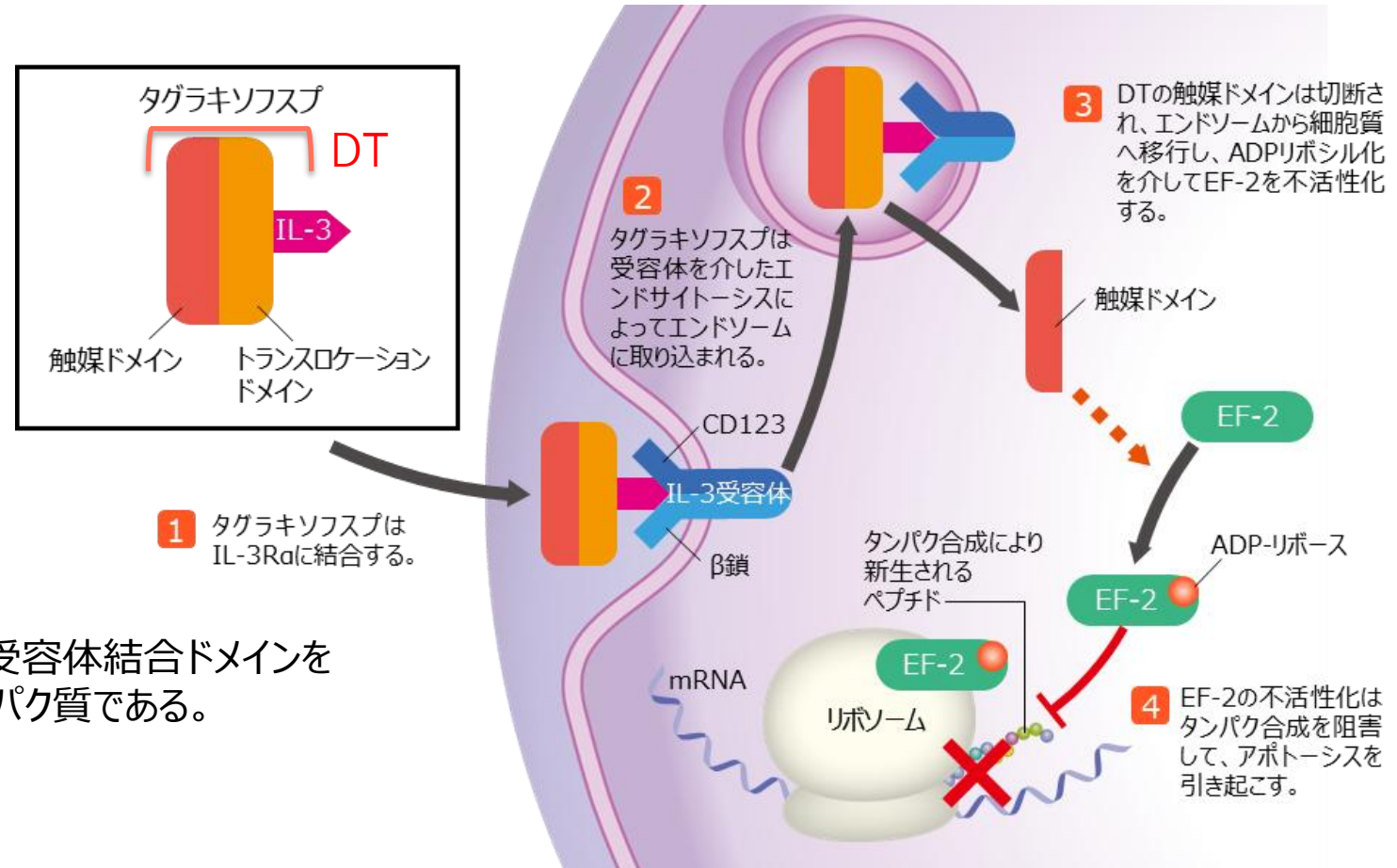


エルゾンリス®の特徴（薬理作用）

- CD123を標的とした初の薬剤
- 正常組織への毒性を最小限に抑えつつ、CD123 (IL-3R α)を発現するBPDCN細胞への選択的な殺細胞作用を有する

タグラキソフスプの作用機序

タグラキソフスプは、ジフテリア毒素（DT）の受容体結合ドメインをヒトIL-3に置き換えた遺伝子組換え融合タンパク質である。



ビルテプソ グローバル第Ⅲ相試験の動向

<臨床試験>

- ・国内第Ⅰ / Ⅱ 相試験（2016～2017年）
- ・米国第Ⅱ 相試験（201試験：2016～2018年）およびその継続試験（202試験）

結果：

- ・DMD患者の骨格筋で、ジストロフィンタンパクの発現が確認された。
- ・自然歴群と比較して一部の検査項目で有意差が認められ、運動機能の改善が示唆された。

- ・グローバル第Ⅲ相試験（301試験） **承認条件として実施が求められている検証試験**

結果：

- ・主要評価項目である床からの立ち上がり時間（TTSTAND）および副次評価項目（10m歩行時間、4段階昇降時間、6分間歩行距離、NSAA）において、ビルトラルセン投与群とプラセボ投与群に統計的な有意差は認められなかった。

<承認・販売>

日本：2020年3月 条件付き早期承認取得、同年5月に販売開始

米国：2020年8月 迅速承認取得、販売開始

※FDAに301試験の総括報告書（CSR）と追加第Ⅲ相試験（303試験）の
プロトコルを提出済。現在は303試験の実施について、FDAに照会

＜対象患者の年齢＞

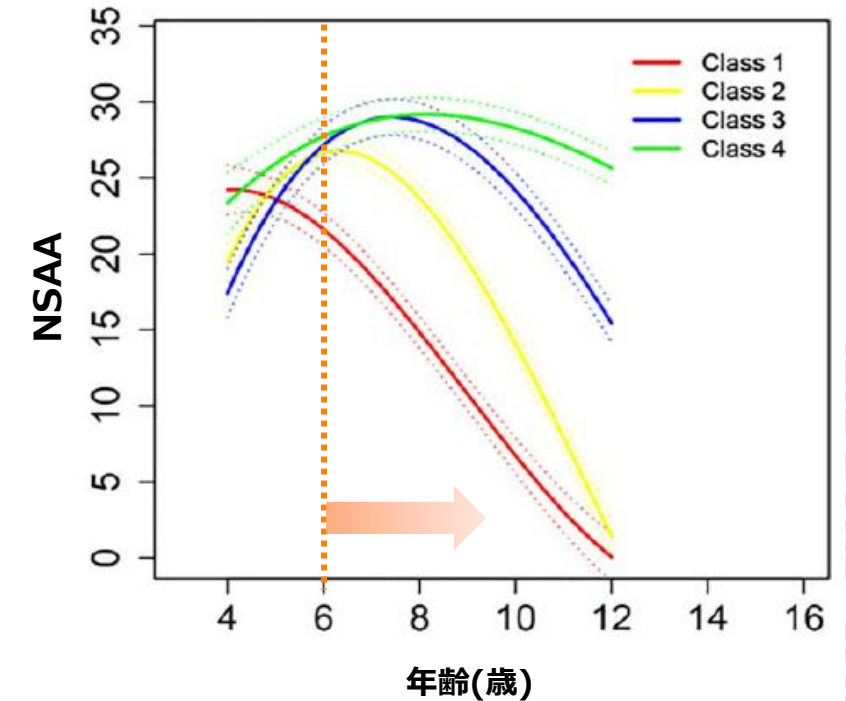
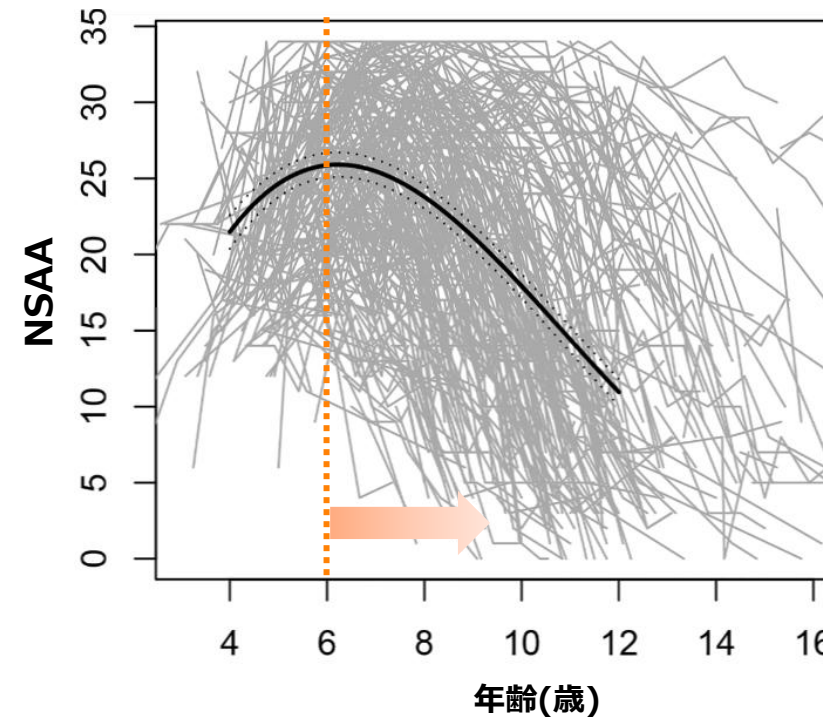
6歳以上

＜主要評価項目＞

NSAA

＜投与期間＞

96週



(PLOS ONE 2019, Muntoni)

＜組み入れ基準、条件設定＞

- ・ベースラインのNSAAスコアの範囲を規定



患者の病状進行による運動機能変化の異質性を低減

- ・ステロイドの前投与期間および試験期間を通した投与量/レジメンを厳密に規定

参考資料

医薬品売上収益の内訳

- ・ フィンテプラは投与患者増加中。2025年度薬価改定での改定時加算（加算率15%）の影響を含む
- ・ 工業所有権等収益は、為替レートの想定を変更した影響により、今期予想を上方修正

(百万円)

製品名 / 開発記号		薬効	2024年度 Q3実績	2025年度 Q3実績	差異	増減率	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率
ビルテプソ			16,389	15,877	-512	-3.1%	21,100	21,200	+100	+0.5%
(内. 日本)		デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(3,527)	(3,685)	(+157)	(+4.5%)	(4,800)	(4,800)	-	-
(内. 米国)			(12,861)	(12,192)	(-669)	(-5.2%)	(16,300)	(16,400)	(+100)	(+0.6%)
ウプトラビ		肺動脈性肺高血圧症治療剤 慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤	11,623	13,188	+1,564	+13.5%	17,000	17,300	+300	+1.8%
ビキセオス		高リスク急性骨髄性白血病治療剤	3,737	4,562	+824	+22.1%	6,500	6,000	-500	-7.7%
ガザイバ		CD20陽性の濾胞性リンパ腫治療剤 CD20陽性の慢性リンパ性白血病治療剤	3,805	3,950	+144	+3.8%	5,000	5,000	-	-
フィンテプラ		ドラベ症候群に伴うてんかん発作治療剤 レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作治療剤	1,384	3,098	+1,714	+123.8%	4,000	4,200	+200	+5.0%
アーリーダ		前立腺癌治療剤	-	3,039	+3,039	-	6,300	6,300	-	-
ビダーザ		骨髄異形成症候群治療剤 急性骨髄性白血病治療剤	4,111	2,624	-1,486	-36.2%	3,200	3,200	-	-
デファイテリオ		肝類洞閉塞症候群治療剤	2,090	2,090	+0	+0.0%	2,500	2,500	-	-
トラマール・ワントラム		がん疼痛・慢性疼痛治療剤	2,179	1,846	-333	-15.3%	2,200	2,200	-	-
シアリス		勃起不全（ED）治療剤	1,932	1,753	-179	-9.3%	2,300	2,300	-	-
CAP-1002 deramiocel（米国）		デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤	-	-	-	-	-	-	-	-
共同販促収入			7,132	7,082	-49	-0.7%	9,200	9,000	-200	-2.2%
工業所有権等収益			34,071	36,802	+2,731	+8.0%	47,000	49,000	+2,000	+4.3%
医薬品合計			104,560	110,194	+5,633	+5.4%	145,000	147,500	+2,500	+1.7%

業績予想における2025年度Q4の為替レートは1ドル=150円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約1.2億円増加を想定。

*2025年11月14日 2025年度第2四半期決算発表

機能食品売上収益の内訳

・ サプリメントは原料価格上昇を価格転嫁したことにより消費者の買い控えが発生し、今期予想を下方修正

(百万円)	2024年度Q3 (4-12月)		2025年度Q3 (4-12月)		差異	増減率	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比						
プロテイン製剤	10,556	63.0%	10,420	61.5%	-135	-1.3%	13,900	14,000	+100	+0.7%
品質安定保存剤	2,576	15.4%	2,546	15.0%	-30	-1.2%	3,400	3,400	-	-
サプリメント	1,893	11.3%	2,025	12.0%	+131	+7.0%	3,500	2,700	-800	-22.9%
健康食品素材	748	4.5%	927	5.5%	+178	+23.8%	1,100	1,200	+100	+9.1%
その他	983	5.8%	1,021	6.0%	+37	+3.9%	1,100	1,200	+100	+9.1%
機能食品合計	16,759	100.0%	16,941	100.0%	+182	+1.1%	23,000	22,500	-500	-2.2%

*2025年11月14日 2025年度第2四半期決算発表

財政状況

(百万円)	2024年度 前会計年度末	2025年度 当Q3会計期間末	差異		2024年度 前会計年度末	2025年度 当Q3会計期間末	差異
資産	283,637	328,108	+44,470	負債	36,297	43,911	+7,614
(流動資産)	149,740	171,523	+21,783	(流動負債)	30,316	30,408	+92
(非流動資産)	133,897	156,584	+22,687	(非流動負債)	5,980	13,503	+7,522
				資本	247,340	284,196	+36,856
合 計	283,637	328,108	+44,470	合 計	283,637	328,108	+44,470

= 資産の部 =

現金及び現金同等物	+5,529
営業債権及びその他の債権	+11,369
棚卸資産	+6,114
その他の金融資産（非流動）	+23,914

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	+2,050
繰延税金負債	+7,140
利益剰余金	+19,805

パイプライン (1/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	適応症	スケジュール	申請（予定） 地域	試験番号
発売 PⅢ	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	日本	iRCT2080224893
				—	米国	NCT04060199
申請中	CAP-1002 (deramiocele)	提携 カプリコル・セラピューティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	—	米国	NCT03406780 ¹
						NCT05126758 ²
発売準備中	NS-401 (タグラキソフスプ)	導入 メナリニ社	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度	日本	iRCT2031220023
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジェネラバイオ社	ムコ多糖症Ⅱ型	臨床試験の実施保留中 ³	米国	NCT03566043
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携 イーシービー社	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本	iRCT2041230015
	GA101 (オビヌツズマブ)	導入 中外製薬株式会社	ループス腎炎	申請予定：2026年	日本	iRCT2011210059
			小児特発性ネフローゼ症候群	申請予定：2026年	日本	NCT05627557
			腎症を伴わない 全身性エリテマトーデス	申請予定：2027年	日本	iRCT2071230031
	CAP-1002 (deramiocele)	提携 カプリコル・セラピューティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国	NCT05126758
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス 日本イーライリリ株式会社	マントル細胞リンパ腫	—	日本	iRCT2021210026
			慢性リンパ性白血病	—	日本	iRCT2011210061
					日本	iRCT2041210150
					日本	iRCT2021220024

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

1. 第Ⅱ相試験（HOPE-2試験）

2. 第Ⅲ相試験（HOPE-3試験）

3. 2026年1月にFDAより臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を受けた

パイプライン (2/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	適応症	スケジュール	申請（予定） 地域	試験番号
PⅡ	NS-304 (セレキシバグ)	自社	閉塞性動脈硬化症	試験終了：2025年度	日本	jRCT2031210497
	NS-580 (friluglanstat)	自社	子宮内膜症	一時中断	日本	jRCT2031210685
			慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本	jRCT2031230134
	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041250028
					米国	NCT05996003
	NS-229	自社	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031230526
米国					NCT06046222	
PⅠ/Ⅱ	NS-050/NCNP-03	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2027年度	日本	jRCT2041240060
					米国	NCT06053814
	ATSN-101	導入 アトセ・セラピューティクス社	GUCY2D遺伝子変異型 レーバー先天性黒内障	試験終了：2027年度	米国	NCT03920007
	RGX-111	提携 リジェネラバイオ社	ムコ多糖症Ⅰ型	臨床試験の実施保留中 ¹	米国	NCT03580083
PⅠ	NS-917 (radgocitabine)	導入 デルタファイアーマ株式会社	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031210452
	NS-025	自社	泌尿器疾患	試験終了：2024年度	日本	jRCT2031220474
	NS-863	自社	循環代謝系疾患	試験終了：2024年度	日本	jRCT2071230038
	NS-245	自社	炎症性疾患	試験終了：2026年度	日本	jRCT2071250086

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

1. 2026年1月にFDAより臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を受けた

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	国内 発売 米国 発売 グローバルPⅢ継続試験
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 形	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

参考情報： DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン53スキッピング適応患者は、DMD患者の約8%。

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤 －

開発段階	米国 PⅢ試験 申請中（デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症）
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を締結 （2022/1 米国、2023/2 国内）
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心筋症 デュシェンヌ型筋ジストロフィー
剤 形	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

－ 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 －

開発段階	発売準備中
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
剤形	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

－ ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 －

開発段階	米国 申請中
開発形態	リジェネクスバイオ社が実施 2025/1 リジェネクスバイオ社と米国および日本を含むアジアにおける販売提携契約
作用機序	イズロン酸-2-スルファターゼ遺伝子治療剤
適 応 症	ムコ多糖症Ⅱ型
剤 形	注射剤
特 徴	AAV9ベクターにイズロン酸-2-スルファターゼ（IDS）遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDS遺伝子を送達し、IDSを産生させる 1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られることが期待される

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〉 発売 〈CDKL5欠損症〉 PⅢ試験
開発形態	ユーシービージャパン株式会社が実施 2019/3 ユーシービージャパン株式会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 形	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）

参考情報：日本における推定患者数は、ドラベ症候群が約3,000人、レノックス・ガストー症候群が約4,300人とされている。

－ ループス腎炎治療剤、小児特発性ネフローゼ症候群治療剤、腎症を伴わない全身性エリテマトーデス治療剤 －

開発段階	<p>〈LN〉 PⅢ試験</p> <p>〈PNS〉 PⅢ試験</p> <p>〈腎症を伴わないSLE〉 PⅢ試験</p>
開発形態	<p>中外製薬株式会社と共同開発</p> <p>2012/11 中外製薬株式会社より導入</p>
作用機序	抗CD20モノクローナル抗体
適応症	<p>ループス腎炎（LN）、小児特発性ネフローゼ症候群（PNS）</p> <p>腎症を伴わない全身性エリテマトーデス（SLE）</p>
剤形	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

－ マントル細胞リンパ腫治療剤、慢性リンパ性白血病治療剤 －

開発段階	<p>＜他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫＞ 発売</p> <p>＜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＞ 発売</p> <p>＜MCL＞ ＜CLL＞ PⅢ試験</p>
開発形態	<p>日本イーライリリー株式会社が開発</p> <p>2024/3 日本イーライリリー株式会社と日本におけるアライアンス契約を締結</p>
作用機序	可逆的非共有結合型BTK阻害剤
適応症	マントル細胞リンパ腫（MCL） 慢性リンパ性白血病（CLL）
剤形	経口剤
特徴	新規の結合機序を有しブルトン型チロシンキナーゼ（BTK）に高い選択性を示す

NS-304（セレキシパグ）

－ 閉塞性動脈硬化症治療剤 －

開発段階	〈ASO〉 PⅡb試験
開発形態	自社開発
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）
剤形	経口剤
特徴	長時間作用型経口剤

参考情報：日本における閉塞性動脈硬化症（ASO）の间歇性跛行患者数は約84万人と推定されている。

－ 子宮内膜症治療剤、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群治療剤 －

開発段階	〈子宮内膜症〉 PⅡb試験 一時中断 〈CP/CPPS〉 PⅡa試験 一時中断
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)
剤形	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

－ 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PⅡ試験
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
剤形	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

参考情報：DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン44スキッピング適応患者は、DMD患者の約6%。

－ 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PⅡ試験
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 形	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

－ 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
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 形	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

参考情報： DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン50スキッピング適応患者は、DMD患者の約4%。

－ GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障治療剤 －

開発段階	米国 P I / II 試験
開発形態	アトセナ・セラピューティクス社が実施 (米国) 販売提携契約 (日本) 開発・販売ライセンス契約
作用機序	GUCY2D 遺伝子治療剤
適 応 症	GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障 (LCA1)
剤 形	注射剤
特 徴	ヒトGUCY2D遺伝子をAAV5ベクターに組み込んだ遺伝子治療剤であり、網膜下に投与することで正常なGUCY2D遺伝子を発現させ、光受容体の機能を回復させる 本剤が承認されればLCA 1 に対する初の特異的かつ根本的な治療薬となる

参考情報： LCA（レーバー先天性黒内障）の推定患者数は約1万人前後（日本）、5万人弱（米国）。GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障はLCAの最も一般的な型のひとつで、LCAのおよそ1割程度を占めると推定される

－ ムコ多糖症Ⅰ型治療剤 －

開発段階	グローバルPⅠ/Ⅱ試験
開発形態	リジェネクスバイオ社が実施 2025/1リジェネクスバイオ社と米国および日本を含むアジアにおける販売提携契約
作用機序	α-L-イズロニダーゼ遺伝子治療剤
適応症	ムコ多糖症Ⅰ型
剤形	注射剤
特徴	AAV9ベクターにα-L-イズロニダーゼ（IDUA）遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDUA遺伝子を送達し、IDUAを産生させる 1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られることが期待される

NS-917 (radgocitabine)

－ 再発・難治性急性骨髄性白血病治療剤 －

開発段階	PI試験
開発形態	自社開発 2017/3 デルタフライファーマ株式会社より導入
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
剤形	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)

参考情報：日本におけるAMLの投薬患者数は約1万6千人と推定されている（ADM2019）。そのうち、再発・難治性の患者数は5割程度

－ 泌尿器疾患治療剤 －

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	泌尿器疾患
剤 形	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 形	経口剤

－ 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 形	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。