



日本新薬

日本新薬株式会社

2025 年度第 3 四半期決算説明会

2026 年 2 月 9 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 3 四半期決算説明会

[日程] 2026 年 2 月 9 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 3 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。代表取締役社長の中井でございます。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。取締役 営業担当の岩田でございます。取締役 研究開発担当の桑野でございます。司会は経営企画部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、弊社ウェブサイト公開いたしますので、発表終了後の質疑につきましては、その点ご了承の上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。

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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

2

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 3 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 3 四半期の業績と 2025 年度の業績見通しに加え、CAP-1002 と RGX-121 に関するアップデート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とトピックスにつきましては、研究開発担当の桑野から説明させていただきます。

ポイント

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）

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 4

それでは、2025 年度第 3 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。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 3 四半期の業績は、医薬品・機能食品事業が共に増収となり、4 期連続で増収となりました。営業利益は、販管費の増加などの影響で減益となりました。

2025 年度の業績見通しについては第 4 四半期の想定為替レートを変更したことなどにより売上収益を 20 億円上方修正しますが、研究開発費などが増加する予定のため、営業利益に変更はございません。

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%

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。

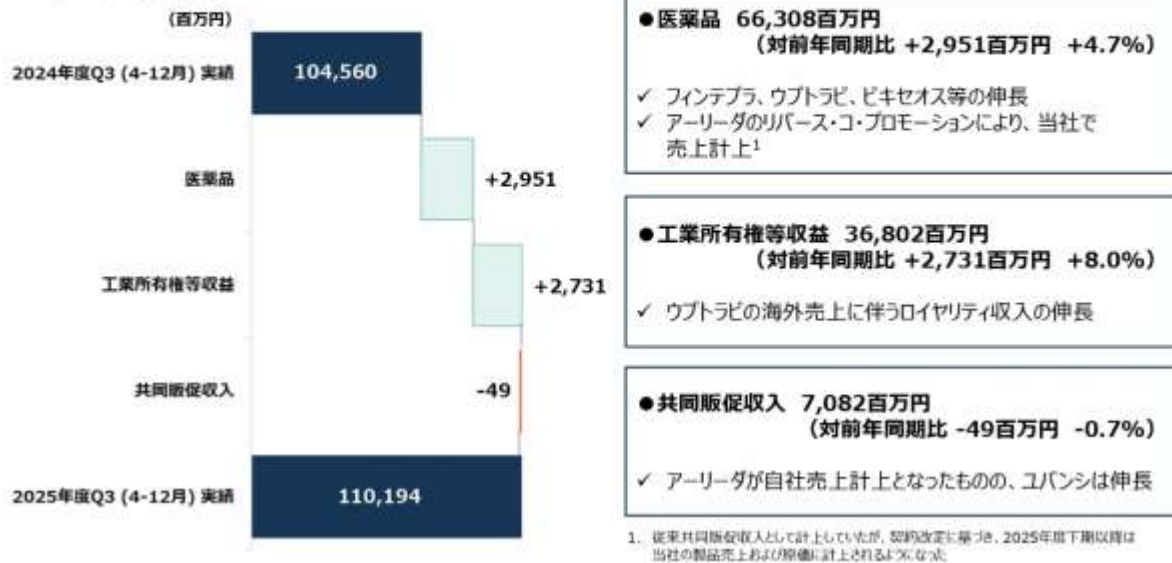
2025年度第3四半期の業績の概要ですが、前年同期と比べ連結売上収益は58億1千5百万円増加の1,271億3千5百万円、営業利益は4億1千9百万円減少の323億3千3百万円、税引前四半期利益は2億1千万円減少の332億2千7百万円となりました。

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四半期利益は、27億7百万円減少し、258億4千4百万円となりました。

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



スライド 6 ページをご覧ください。

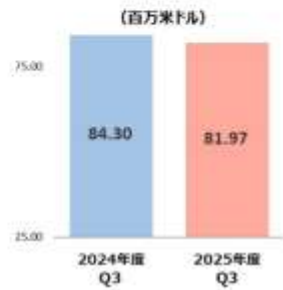
医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響があったものの、「ウプトラビ」の国内売上および同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入や、「フィンテプラ」「ビキセオス」などの新製品群が伸長、また、契約改定に基づき昨年 10 月より当社の製品売上として計上している「アーリーダ」も寄与したことで、医薬品事業の連結売上収益は、1,101 億 9 千 4 百万円と、対前年同期比 5.4%の増収となりました。

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	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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 ✓ 低年齢のエクラン53スキャン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)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 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



スライド7ページをご覧ください。

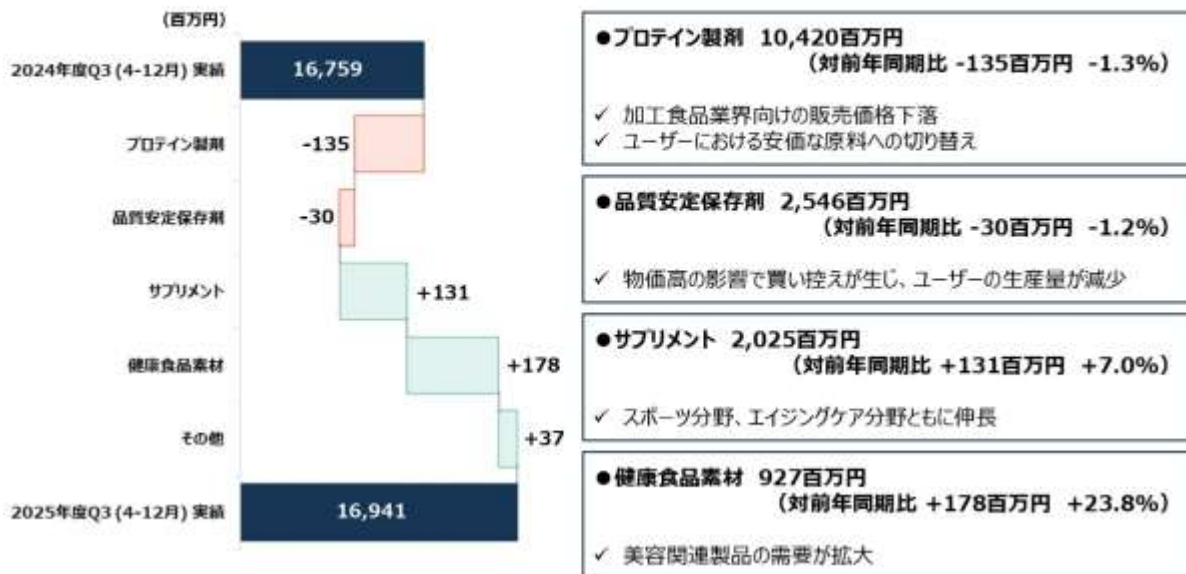
こちらでは、日米で販売を行っている「ビルテプソ」の売上をお示ししております。

2025年度第3四半期の売上実績ですが、日本国内で36億8千5百万円、米国で121億9千2百万円となりました。米国においては前年同期に比べ、ドルベースでも減少しています。新規の患者さんも継続的に獲得できていますが、複数の高額な治療薬が上市されたことにより、保険審査が厳しくなってきたことが原因で、脱落してしまう患者さんが増加していると考えられます。

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164億円を想定しております。

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



NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 8

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、品質安定保存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、169 億 4 千 1 百万円と、対前年同期比 1.1%の増収となりました。

営業利益

- ・ 販管費の増加等に伴い、減益



NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 9

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 1.0 ポイント悪化し、33.0%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、317 億 4 百万円と、対前年同期比 15.0%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、230 億 3 千 3 百万円と、対前年同期比 2.2%の減少となりました。その他の収益については、為替差益が増加しました。

これらの結果として、営業利益は 323 億 3 千 3 百万円と、対前年同期比 1.3%の減益となりました。

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	-	-

* 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、為替換算率は1円が140円で売上収益が約1.2億円増加を想定、営業利益が約2.4億円増加を想定。

● 売上収益 170,000百万円
(前回予想比 +2,000百万円 +1.2%)
✓ ウォーラビのロイヤリティ収入が円安の高とも含め
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%)
✓ 委託研究費や試験薬製造費用の増加

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。連結売上収益は第 4 四半期の為替レートの想定を 1 ドル 140 円から 150 円に変更したことなどにより前回予想より 20 億円増加の 1,700 億円を見込んでいます。

販売費及び一般管理費は、米国の新製品の発売準備における費用が増加する見通しであるため 5 億円増加し、435 億円を見込んでいます。

研究開発費は、委託研究費や核酸治験薬製造費用の増加により 20 億円増加し、370 億円を見込んでおり、営業利益など各利益に変更はございません。

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 Q3実績	2025年度 Q3実績	2025年度 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、為替換算率は1円が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。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 11

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 1,700 億円と、前期と比べ、6.1%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 33.5%と、1.6 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、14.4%増加の 435 億円、研究開発費は、7.7%増加の 370 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。

CAP-1002 (deramiciol) アップデート

January 20, 2026



Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramiciol 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 enzyme-based therapeutics for the treatment of rare diseases, today provided a regulatory update regarding its Biologics License Application (BLA) for Deramiciol, 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 (PDURFA) 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 Martin, 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 Deramiciol'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 Deramiciol 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試験データ
2. CSR (Clinical Study Report) : 試験が終了したときに臨床及び統計上の記録、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](#)

13

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 13 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。

カプリコール社は昨年末に HOPE-3 試験のトップラインデータを米国 FDA に提出後、FDA からの求めに応じて HOPE-3 試験の治験総括報告書を今月中に提出する予定としています。これにより、FDA の審査が再開される見込みです。

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 endpoint**¹: PUL v2.0 skeletal muscle assessment
 - ❖ **Key secondary endpoint**²: left ventricular fraction (LVEF) cardiac assessment
 - ❖ **Other secondary endpoints**³: mid-level PUL v2.0, GST² and LGE³

ClinicalTrials.gov ID: NCT01512675/8

出所: ガブリエル社 14

スライド 14 ページをご覧ください。

ここからは HOPE-3 試験について簡単にご紹介させていただきます。

こちらは試験のデザインです。HOPE-3 試験はランダム二重盲検プラセボ比較試験で、12 ヶ月での効果を確認しており、106 名の患者さんが登録されました。主要評価項目は上肢機能の評価する PUL2.0 であり、重要な副次評価項目は左室駆出率である LVEF が設定されています。

CAP-1002 (deramiocele) 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)	Deramiocele (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

出所: ガブリエル社 15

スライド 1 5 ページをご覧ください。こちらは HOPE-3 試験の患者背景です。

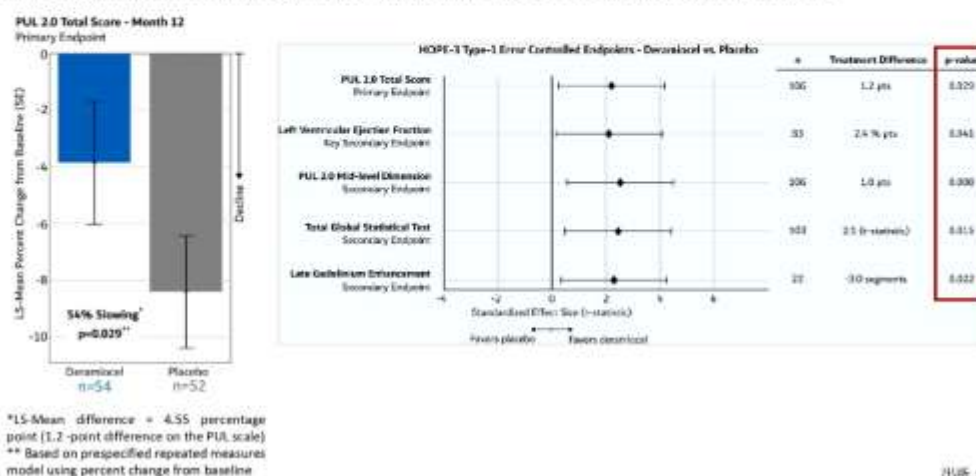
HOPE-3 試験の対象は 10 歳以上で、実際に試験に参加された患者さんの平均年齢は 15 歳でした。106 例の患者さんの中で約 85% が歩行不能であり、約 75% の患者さんが心筋症を患っておられました。

CAP-1002 (deramiciol) 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



出所 : カブリエル社 16

スライド 1 6 ページをご覧ください。

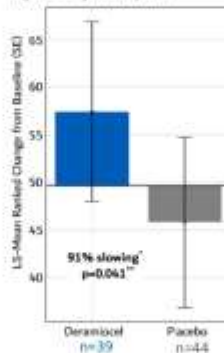
こちらは HOPE-3 試験の主要評価項目の結果を表したグラフです。

投与開始から 12 ヶ月時点における PUL2.0 のベースラインからの変化率では、deramiciol 群はプラセボ群と比較して疾患進行を 54%抑制し、統計学的に有意に進行を遅らせることが確認されました。さらに 4 つの副次評価項目についても統計学的に有意な結果が得られました。

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

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)

出所：カブシキ会社 17

スライド 17 ページをご覧ください。

こちらは本試験の重要な副次評価項目である投与開始から 12 ヶ月時点での心臓 MRI で測定した LVEF の結果です。LVEF のベースラインからの変化ではプラセボ群と比較して deramiciol 群は心機能の低下の進行が 91%抑制されることが示されており、統計学的に有意に進行を遅らせることが確認されました。

CAP-1002 (deramiciol) 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 (%)	Deramiciol (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)

出所：カブシキ会社 18

スライド 18 ページをご覧ください。

こちらは安全性に関する結果ですが、これまでの臨床試験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しております。カプリコール社はご紹介しました HOPE-3 試験の治験総括報告書を近いうちに FDA に提出する予定としており、それにより、FDA の審査が再開されると期待しております。

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

NEWS RELEASE

新しい治験結果、新薬
日本新薬
2026 年 1 月 29 日
日本新薬株式会社
広報部

各 位

米国 REGENXBIO 社のムコ多糖症治療薬に関する最新治験結果の最新情報についてのお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都府西宮、代表取締役社長：中村 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ケットビル、最高経営責任者（CEO）：Barry M. Trappan、以下「REGENXBIO 社」）が米国食品医薬品局（FDA）より、臨床試験の実施承認書（クリニカル・ホールド）を受けたことをご報告いたします。

詳細につきましては、REGENXBIO 社からのプレスリリースをご覧ください。
<https://ir.regenxbio.com/news-events/news-releases/default.aspx?releaseid=107&releaseid=107>
<https://ir.regenxbio.com/news-events/news-releases/default.aspx?releaseid=107&releaseid=107>

RGX-111 および RGX-121 は、REGENXBIO 社がそれぞれムコ多糖症 I 型（MPS I、ハラー症候群）およびムコ多糖症 II 型（MPS II、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 NG Pharma, Inc.（ニュージャージー州バラス、社長：杉山 幸輝）が販売・臨床試験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 社はアザノミドウイルスを用いた革新的な遺伝子治療薬の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。

出所：2026 年 1 月 29 日 会社プレスリリース

それでは、ここからは、RGX-121 のアップデートについて説明いたします。

スライド 20 ページをご覧ください。

ムコ多糖症治療薬である RGX-111 および 121 におきまして、提携企業である REGENXBIO 社が米国 FDA よりクリニカル・ホールドを受けました。これは RGX-111 の第 I/II 相試験において腫瘍の単発事例が認められたことによりですが、製品の特性、試験対象患者、および臨床試験でのリスクに類似性が認められることを理由として RGX-121 についても臨床試験のクリニカル・ホールドが決定されました。

現時点ではまだ正式な文書を受領しておらず、追加情報を待っている状況です。当社としましては、引き続き米国での製品の拡大に向けて販売準備を進めてまいります。

私からの説明は以上となります。

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 (ビルトラルゼン)	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 (タグラキソフスブ)	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 (マシデンタン)	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 (ビルトブルチニブ)	ジャイバーカ	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 (ゼレキシバグ)	ウブトラビ	ウブトラビ錠小児用0.05mg	2025年3月
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	ムコ多糖腫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			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

22

桑野：研究開発担当の桑野 敬市です。続きまして、研究開発品目の進捗状況について 2025 年度第 2 四半期の決算以降でアップデートした内容を説明いたします。

スライド 2 2 ページをご覧ください。

「ビルテプソ」につきましては、FDA による 301 試験の報告書のレビューが継続中であるとの確認をしております。また、303 試験については最終のプロトコルに関して FDA に引き続き照会中です。

NS-401「エルゾンリス」につきましては、昨年 12 月に厚生労働省より製造販売承認を取得しました。

「オプスミット」につきましては昨年 12 月に Johnson & Johnson 社が小児の肺動脈性肺高血圧症に対して適応追加の承認を取得しました。また、小児用分散錠の製造販売承認も取得しております。

「RGX-121」につきましては 1 月に FDA より臨床試験のクリニカル・ホールドを受け、正式な文書による追加情報を待っている状況です。

「CAP-1002」につきましては、昨年 12 月に HOPE-3 試験のトップラインデータが公表され、現在は FDA からの求めに応じて HOPE-3 試験の治験総括報告書をカプリコール社が今月中に提出する予定としています。

「ガザイバ」につきましては、昨年 11 月より未治療の慢性リンパ性白血病に対して分子標的薬である BCL-2 阻害薬のベネトクラクスとの併用が可能になりました。

「NS-245」につきましては、炎症性疾患を対象に昨年 12 月より第Ⅰ相試験を開始しております。

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 (ホストン小児病院)	—	—	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 (プロギシルセン)	—	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

スライド 23 ページをご覧ください。

難病・希少疾患を対象とした、標的探索に関するオープンイノベーションの一環として、昨年 12 月に株式会社 FRONTEO と AI 技術を活用した共創プロジェクトを開始しました。

以上、研究開発の進捗状況についてご説明させていただきました。

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	タグラキソフスブ（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	イメナリーニ・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



続きまして、研究開発でのトピックスについてご紹介させていただきます。

スライド24ページをご覧ください。

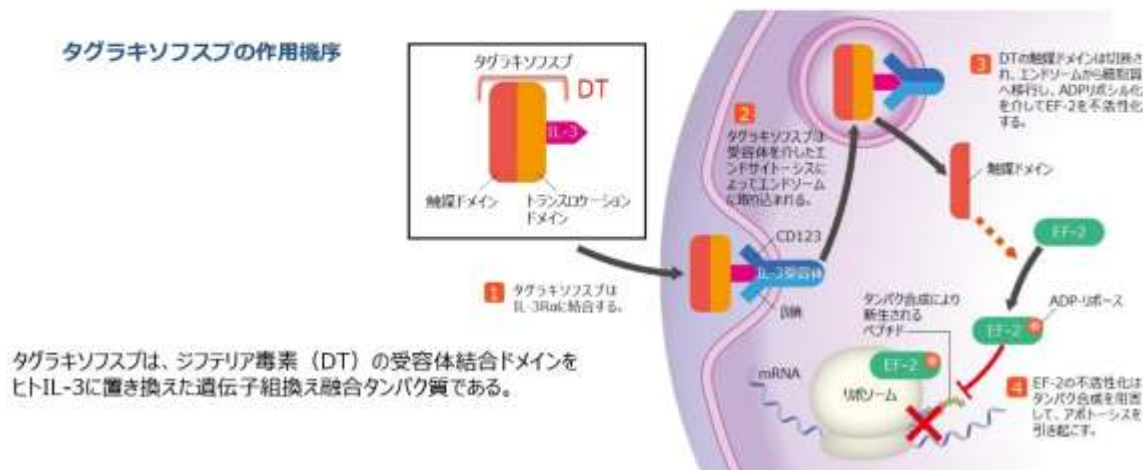
はじめに、昨年12月に製造販売承認を取得しました、BPDCNの治療剤である「エルゾンリス」についてご紹介させていただきます。

BPDCNは形質細胞様樹状細胞に由来する、予後不良な希少造血器腫瘍です。診断時の年齢中央値は70歳前後で、国内の患者数は極めて少ない希少疾患です。現在、国内ではBPDCNの適応を有する治療薬は存在せず、生存期間中央値は7～13ヵ月と予後不良な疾患であり、新たな治療選択肢が必要とされていました。

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-3Rα)を発現するBPDCN細胞への選択的な殺細胞作用を有する

タグラキソフスの作用機序



Alkharabsheh O, et al. Biomedicines. 2019;7(1):6-14. <https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

25

スライド 25 ページをご覧ください。こちらはエルゾンリスの薬理作用を表した図です。

本剤は、CD123 という細胞表面タンパク質を標的とする初の治療薬であり、BPDCN 細胞に過剰発現している CD123 に特異的に結合してタンパク質合成を阻害し、アポトーシスを誘導することにより BPDCN 細胞を死滅させます。

本剤は、海外で実施された未治療および再発・難治性 BPDCN 患者に対する第 I/II 相試験の結果に基づき、米国では 2018 年 12 月に BPDCN を適応症として、欧州では 2021 年 1 月に未治療 BPDCN を適応症として承認されており、すでに 40 以上の国で承認を取得しています。

本剤は、2021 年 3 月にメナリーニ・グループより導入し、開発を進めておりました。

今回の製造販売承認は、当社が実施した国内の BPDCN 患者を対象とした第 I/II 相試験およびメナリーニ・グループのステムライン・セラピューティクス社が実施した海外第 I/II 相試験などの成績に基づいています。

当社は、本剤を必要とする患者さんのもとへ適切にお届けすることで、BPDCN の治療に貢献できるものと考えています。

それでは次に、現在 FDA に照会中のビルテプソの 303 試験につきまして当社が想定している試験の概要について改めてご説明させていただきます。

ビルテプソ これまでの経緯

<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

スライド27ページをご覧ください。

まず、これまでの経緯を簡単にまとめてご紹介させていただきます。

ビルテプソは国内の第Ⅰ/Ⅱ相試験や米国での第Ⅱ相試験において、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ており、自然歴と比較して運動機能の改善が示唆されました。

この結果をもって、2020年3月に日本において条件付き早期承認を取得し、2020年8月には米国において迅速承認を取得しました。2020年の5月に日本で、8月には米国で販売を開始しており、これまで臨床現場において数多くの患者さんにお役立ていただいております。

承認条件として実施が求められている検証試験としてのグローバル第Ⅲ相試験であります301試験につきましては2024年の5月に主要評価項目の「床からの立ち上がり時間」についてプラセボ投与群と比較して統計的に有意な差が認められなかったという内容を発表させていただきました。

この結果を受けて、ビルテプソの販売を継続した上で追加の第Ⅲ相試験である303試験を実施することについて、現在FDAに照会中ですが、当社として想定しているプロトコルについて次のスライドでご説明させていただきます。

＜対象患者の年齢＞

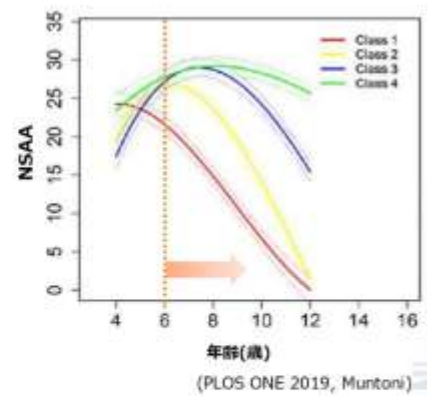
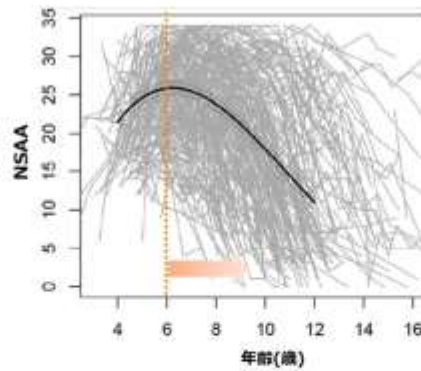
6歳以上

＜主要評価項目＞

NSAA

＜投与期間＞

96週



＜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

*本スライドは現時点での当社の想定であり、最終的な試験デザインは今後FDAとの協議を経て決定されます。

28

スライド 28 ページをご覧ください。

301 試験の結果を踏まえ、追加の第Ⅲ相試験である 303 試験では、患者さんの年齢を 6 歳以上、投与期間は 96 週、またステロイドの投与について厳密に規定するなど組み入れ基準を設定し、ビルテプソの有効性と安全性を確認できる試験デザインを提案しております。

こちらのデザインにつきましては、FDA と合意を取る前の情報ということにご注意ください。

ビルテプソに関する新たな情報につきましては、状況が変り次第、速やかに開示させていただく予定です。

以上、研究開発の進捗状況とトピックス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。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。それでは、シティグループ証券、山口さん、よろしくお願いいたします。

山口 [Q]：シティの山口です。よろしくお願いいたします。

まず、Q3 までの実績と今回の変更は売上のところは理解できたのですが、販管費で5 億円、あと研究開発費で20 億円の追加が発表になっていますが、特にこの研究開発費の追加は結構額が大きいのですが、御社の核酸のところ結構動くんですが。今回、ちょっとした事情があって増えるんですか。それとも使い切れなかなというので増えたとか、事情があればこの二つについて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。特に研究開発費につきましては、20 億円、前回予想に比べて増やしておりますけれども、実際に核酸品目のみならず、それ以外の開発パイプラインについても、臨床試験に向けた動きがございますので、それらの費用がプラスで乗せているというような状況でございます。枝光さん、何か補足等ございましたら。大丈夫ですか。以上でございます。

山口 [Q]：分かりました。ということは、来期もこの水準がベースになるんですか。370 億円ぐらい、そこからちょっと増えるような感じ、来期は来期なんだろうけれども、いかがでしょうか。

中井 [M]：そちらについては、枝光よりコメントさせていただきます。

枝光 [A]：来期については、もちろん今年度の数字はベースになりますけれども、委託研究費や核酸治験薬製造費用というのは前年度と同じ水準に必ずなるというわけではございませんので、また来年度の数字については別途あらためてお知らせしたいと思います。

山口 [Q]：ありがとうございます。ビルテプソについてご解説ありがとうございました。もともとは、去年ですかね、もうちょっと前に返事が来るんじゃないかという見立てでしたけど。相手のいる話なので待っているということだと思うんですけど。まさにタイミングが遅れている理由がも

しあれば教えていただきたいのと、もしなければ本当に待っているだけだったら、次いつ来そうかというの、ちょっと分からないのかもしれませんが教えていただけるとありがたいんですけれど。

桑野 [A]：ご質問ありがとうございます。桑野からお答えいたします。予定では、ご指摘のように12月の末にはFDAからお返事があると我々も思っていたのですが、それはございません。問い合わせたところ、もう少しレビューに時間がかかるということでして、お返事があるタイミングは現時点では未定ということになっております。以上です。

山口 [Q]：今、未定ですね。

桑野 [A]：はい。

山口 [Q]：分かりました。ありがとうございます。最後に、カプリコールのところは、向こうの情報に合わせて御社もいろいろ出していただければとてもありがたいので助かります。今後は、この総括報告書、2月中ですから間もなく出して、それをベースにそこからPDUFAが決まるという見立て、すなわち半年ですと8月ぐらいというのを見ておけばいいということだと思うんですけど、そういう考え方でよろしいですか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。只今の山口さんからいただいた考え方で結構です。2月に提出して、そこで多分FDAからアクセプトの確認の連絡プラスPDUFAの連絡が来るということ、プラス6カ月の審査期間で、8月ないし9月頃に承認がはっきりするというようなスケジュールで考えております。

山口 [M]：ありがとうございます。以上です。

武智 [M]：続きまして、JP モルガン証券、若尾さん、よろしくお願いします。

若尾 [Q]：JP モルガンの若尾です。よろしくお願いします。

まず、CAP-1002、deramioceolについて教えていただきたいんですが。まず、これからPDUFA date等が出てくるんでしょうけど、8月前後だと思うので。知りたいこととしましては、上市のタイミングをいつと想定して今準備を進めていらっしゃるんでしょうか。確か今期ですかね、今期についても夏ごろの承認で、1-3月の販売予定ということで準備されていると思うんですが、今時点においてはどういうふうにお考えでしょうか。ある程度準備が進んでいるので、夏に承認されたならばすぐに上市してもおかしくないのかなと思うんですが、よろしくお願いします。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。実際に承認を取得した後に、これは物理的な準備ですね、モノの準備に数カ月かかると考えております。例えば承認されると承認番号が付与されますの

で、それをパッケージに付けていくですとか、そういったような実務的な作業に時間がかかること。また、承認されて実際に保険償還される間も少しタイムラグがあるようなことを、ビルテプソ等でも経験しておりますので、承認を取ってから実際に発売、ローンチするタイミングというのは数カ月程度準備期間が要ると想定しております。

若尾 [Q]：としますと、8月に承認されたならばギリギリ年内に販売開始できるかどうかみたいな、そういう時間軸で考えておけばいいですか。

中井 [A]：はい。そのように考えていただいて結構かと思います。

若尾 [Q]：一方で、準備のローンチに向けた費用は、もう足元からかかっているという理解をしてもよろしいですか。来期期初からですか。

中井 [A]：既にローンチに関しての体制整備については費用をかけておりますので、それらの費用が引き続き次年度にもかかってきますし、あとは突発的な、一時的なコンサルティング費用ですとか、そういうものも別途来期にはかかってくると考えております。

若尾 [Q]：分かりました。そうすると来期の費用は多くなると理解して、あと、承認されたときの承認マイルストーンは御社の P/L 上に計上されるという理解でよろしかったですか。

中井 [A]：ありがとうございます。まずはいったん資産計上してから償却していくというような考え方でございます。

若尾 [Q]：分かりました。あとは、今回の得られているデータからこういった承認が得られるかということで。ちょっと気になる点としては、HOPE-2 と HOPE-3 って割と年齢層が高めの方たちが対象になっていると思うんですけど、これは承認時にこういった割と年齢が高めを対象として承認されると見ておいたほうがいいですか。

どちらかという、ここまでの議論だとそういった制限はないようなトーンだったような気がするんですけども。あらためて HOPE-2 と HOPE-3 のデータを見ると、割と年齢の行っている歩けない子たちが中心なので、果たして歩ける子たちも対象になるのかというところがよく分からないので、ここに関する考え方を教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。まず、その適応症の議論については、やはり FDA との話の結果決まっていくので、まだはっきりしたことが言えないというのはご承知かと思いますが。例えばビルテプソにおいては4歳から7歳までのデータを用いて承認を取得したものの、年齢に関係なくエクソン 53 スキッピング対象の患者さんに使えるというようなことになっていることですか。

そういう点からしますと、特に CAP-1002 についても年齢で、10 歳以上の患者さんが組み入れられているのですとか、そういうようなところで、年齢で切り分けることにはならない可能性はあるとは考えておりますが。この辺りは本当に当局との話し合い次第だということです。

たとえ歩行不能に縛られたとなりまして、全 DMD 患者さんの半分以上が歩行不能患者です。この HOPE-3 では 85%が歩行不能ですけれども、そういう考え方で歩行不能の患者さんに絞られたとなった場合は、先ほど申し上げたとおり DMD の半数が対象となってくるのかなと考えておけばいいのではないかと思います。

若尾 [Q]：分かりました。最後に RGX-121 について教えてください。こちらに関しては 121 の問題というよりも 111 のほうで、今動かなくなっていると思うんですが。今後の見通しはどう考えておけばよろしいですか。

御社は、先ほどコメントとしてはこれからも頑張っていくということですでしたが、時間がかかるようであれば、費用の観点であったりとか、こちらに関してはライセンスインしていますが、この契約をいったん中断するとか、そういったことも想定すべきではないのかなと思いますがいかがでしょうか。

中井 [A]：ありがとうございます。実際、クリニカル・ホールド、今回 REGENXBIO 社が受けたものについても、ホールドの内容についての書面がまだ届いておりませんので、今の時点でどうこうコメントができる状況にはないのかなとご理解いただければと思います。

また、今後のそういった審査の結果などについても、内容が分かりましたら、その内容をしっかりと精査をした中で、今後のわれわれのこのプロダクトに対しての考え方等も決めていかなければならないと考えているということで、このタイミングについてのお返事としてはこの辺りでご容赦いただければと思います。

若尾 [Q]：分かりました。そうすると、今まだ分からないので何とも言えませんということなのでしょうが、一応時間がかかるようであればやめるという選択肢もあると考えておいたほうがよろしいですか。CAP-1002 等がうまくいったならば、ここにあまりこだわる必要はないのかなとは思いますが、いかがなものでしょうか。

中井 [A]：それはもちろん若尾さんのご指摘も分かりますけれども、全体を見ながら、全体の中のこの品目の位置付け、優先度等を考慮して考えていきたいと思っています。

若尾 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

武智 [M]：それでは、みずほ証券、田中さん、よろしくお願いします。

田中 [Q]：みずほの田中です。よろしくお願いします。

RGX-121 から。ベクターが同じなので、当然 FDA が懸念することは分かるんですが、これは投与量がかかなり少なく、局所投与なので安全かなと思っていたんですけども、そうでもなかったのかなと思うんですけども。今後どういうことがあれば、このクリニカル・ホールドが解除できると御社は考えていますか。もう全て REGENXBIO にお任せですか。

桑野 [A]：ご質問ありがとうございます。実際にはわれわれはデータを持ち合わせておりませんので、具体的にわれわれがそれに対してどうすればというところはなかなか言及しがたいところでして。REGENXBIO 社の今後の対応に期待したいと考えております。以上です。

田中 [Q]：結構その REGENXBIO のベクターって他の遺伝子治療でも使われていますよね。

桑野 [A]：そうですね。

田中 [Q]：そうですね。それで意外だったとは思いますが。2 点目です。ビルテプソのところで、なかなかもう 1 年以上かかって全然動かないので、御社から見てどこがレビューに時間がかかっているのかとか、その FDA がもちろんリストラされてなかなか進まないというのはずっと言われていることですが、何かそこで御社から見てどこに時間がかかっているのかとか、そういう新しい情報はありますか。

桑野 [A]：われわれも、先ほども申しましたように、昨年末にお返事があるものと思っていたんですけども、意外にも全く何もお返事がございまして、問い合わせたところ、もう少しお時間かかるということでした。

お返事としては、もうそれしかないので、あとは想像にはなるんですけども、例えばサレプタ社も同じような状況にあらうかと思います。だから、この辺りの品目、薬に対してどういうふうに対応するかという辺りを総合的に考えてらっしゃるのかなと想像するぐらいしかお返事ができるようなことはございません。以上です。

田中 [Q]：分かりました。ありがとうございます。最後です。今期の原価率が悪くなっているのは、これはアーリーダの契約変更が大きな影響を及ぼしているんですよね。

枝光 [A]：ご質問ありがとうございます。もちろんその点についても影響していますし、資料にも書いておりますけれども、その他、薬価改定の影響とかもありまして原価率が悪化しているという状況でございます。以上です。

田中 [Q]：費用のかけ方は、リバースしたことによって特に変わっていないんですよね。御社の売上が立っていて、費用はお互いに販管費は使っている、販売費用も使っているってことですよね。取り分は変わらないってことですよね。

中井 [A]：ありがとうございます。ご指摘のとおり、ご推察のとおり、扱い品といいますか、商品として当社が取り扱っていますので、どちらかというところアーリーダは原価率が高い品目となります。売上が立って売上原価を引いて、販管費として当社が販売活動にかけているリソース等がかかった結果、大体利益として残ってくるのは、これまでの提携のあり方とそんな変わらない状況でスキームになっているということでございます。

田中 [Q]：もともとこのリバースしたのは、なんでこんなことをするのかというのがよく分からないんですけど。売上を立てたいからですか。取り分が変わらなかったら、やる意味があまりないような気がするんですけど。

中井 [A]：ありがとうございます。あとは契約期間が延びている点の一つの今回の契約変更の理由でございます。これまでは 2027 年までの契約期間でございました。それはまさしくウプトラビの特許満了の時期にヒットする形で共同販促収入がなくなるというようなことでしたが、それ以降も引き続き当社の利益に貢献してくれる品目としてアーリーダを位置付けたというのが今回の契約変更の意味だにご理解いただければと思います。

田中 [M]：分かりました。ありがとうございました。

武智 [M]：続きまして、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。

私も 1 点目、コストのところをお願いします。来期、研究開発費も恐らく増えていくんだらうというところと、あとは再来年になりますけれど、ウプトラビも特許切れがあって、ロイヤリティも減ってくる。あとは CAP-1002 の欧州のオプションもそろそろかなと思っているんですけども。

CAP-1002 の立ち上がりがうまくいけばいいんですけども、とはいえコストが増えすぎるというのはリスクなのかなと思っていますので、ここはかけなければいけないところを中心に掛けていて、他の部分でコストをコントロールしていくのか、その辺りコストが増える時期ということで、コストに対する考え方をもう少し教えていただけますでしょうか。

枝光 [A]：ご質問ありがとうございました。枝光から回答させていただきます。今年度、もともと 5 月時点の期初の発表のときには、既に今年度から CAP-1002 についてはもう発売をしていくということで計画しておりました。

それを8月から修正したわけですが、そのときのことの数字を思い出していただいたらお分かりいただけると思うんですけれども、やはりご指摘のとおり費用だけが先行してかかるようにならないようにコントロールして、費用を計上していくということを考えておりますので。次年度、また一からの発表になりますけれども、そこは十分考慮して数字を組み立てていきたいと考えております。以上です。

山木田 [Q]：ありがとうございます。販管費のほうで結構増えると思うんですけれども、販管費のほうでコントロールしていくのか、R&D も併せて全体のコストとして、オペレーティングコストとしてコントロールしていくのか、何か考え方はありますでしょうか。

枝光 [A]：もちろん CAP 自体は販管費のところでございますけれども、当然研究開発費も含めた全体のコストとしてコントロールしていきたいと考えております。以上です。

山木田 [Q]：ありがとうございます。すいません、2 点目です。主に御社の中計期間中を考えると、CAP-1002 の成功に結構中計が達成するかどうかというのがかかっている状況かと思います。RGX-121 がクリニカル・ホールドということで状況も変わってきていると思うんですけれども。例えば2 本目の CAP-1002 と同じとは言わないまでも、もう少し RGX-121 かそれより少し大きいぐらいのパイプラインの導入というのは今後も考えていくんでしょうか。事業投資について少し教えてください。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。今後の、いわば導入に関しての計画につきましても、RGX-121 と同じサイズ、またそれより大きい製品、ポテンシャルを持つ製品についても今、BD チームが活動をしている中で、今契約締結の可能性に向けても推進をしていってもらっているところですので。こちら当社の中計期間中の戦略投資、成長投資の範囲内で、成長に向けたライセンス活動を行っていこうと今動いているところです。

山木田 [M]：ありがとうございます。私からは以上になります。

武智 [M]：続きまして、SMBC 日興証券、和田さん、よろしくお願いします。

和田 [Q]：SMBC 日興証券、和田です。ありがとうございます。私は HOPE-3 試験の二つのデータの HOPE-2 との比較をお伺いしたいです。

分かりやすいのは LVEF のほうなので、こちらでお伺いをしたいです。下に今小さく書かれている ranked change であるとかを見ると、HOPE-2 よりもだいぶ小さくなっているように見えるんですけれども。HOPE-2 だと ranked change が 45.7、HOPE-3 だと 11.65、percentile change だと、

HOPE-2 だと 4.0 ぐらいあったのが 2.4 になっているという感じなんですけど。この差が承認に影響を与えないかどうかというのを伺いたいんですが、いかがでしょうか。

桑野 [A]：桑野からお答えします。その差が影響するかどうかは私のほうでは何ともご回答できないです。すみません。以上です。

和田 [Q]：これは数値が小さくなっているのかというのは、多分 deramioceol のデータはそんなに変わらないんですけど、プラセボがだいぶ、HOPE-2 だと 8 ぐらいの LVEF の数値になっていますが、だいぶ小さくなっているという感じですけど。これがだいぶ収束しているのは、例数が増えたからという考え方になりますか。

桑野 [M]：すいません。事務局のほうで何か見解はございますか。

別府 [A]：企画統括部の別府と申します。和田さんのご質問ですが、こちらは HOPE-2 試験では、かなり実薬、プラセボの例数が少なかったです。この差がどこから来ているかという確実な答えは申し上げられませんが、症例数の違いから来ている可能性はあると考えています。

和田 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

武智 [M]：モルガン・スタンレー、李さん、よろしくお願いいたします。

李 [Q]：モルガン・スタンレー、李です。2 点お願いします。

個別製品で、ビルテプソのところ、ドルベースで今回下方修正をなされたと思うんですけども。上期決算のときに新規患者が増加トレンドにありますと。再成長を目指せる、そういうコメントをいただいていたと思うんですけども。結局はこの保険の影響であったり、こういう投与量の減少などが出てきていて、来期以降は、売上はフラットで推移すると見ておいたほうがよろしかったでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。現在ご覧になっている 7 枚目のスライドの米国のところでのコメントにございますように、患者数の伸びは結局はフラット化したのが、これは新規に獲得した、投与に至った患者さんの数は増えているんですけども、保険が償還されずに脱落していた患者さんが出てきて、それでトータルでフラットであるということで。実質は増えてはいるんですけども、傾向としてフラットにあるとご理解いただいたらと思います。

増えた、新規に投与した患者さんの年齢が、これが二つ目のポツにありますように若年化しているんですね。非常に若い患者さんが新規に入ってきていて、年齢が上の患者さんの病態が悪化し、保険が通らずに落ちていっているというような、患者さんが、患者の構成が変わっていています。

ですので、われわれが当初計画していた以上に獲得をしていかないと全体は伸びていかないと理解しなければならないのと、もう一つ同時に、若くして投与に至ったということは、結構継続して使われるというようなプラスの面もございますので、トータルで考えると直近は横ばい傾向ですが、今後こういった新規の患者さんがしっかりと投与を継続することで、ビルテプソの成長は期待できるんじゃないかと考えているということでございます。

李 [Q]：ありがとうございます。御社としては、まだ来期以降も再成長、再成長と言ったらあれですが、成長トレンドに持っていけると考えてらっしゃるということですね。

中井 [A]：はい。そのようにしたいと思います。

李 [Q]：ありがとうございます。2点目が業績全体です。山口さんの質問と重複してしましますが、営業利益の進捗率がかなりよく見えます。一方で、今回通期計画は R&D の増額などを見据えて据え置かれたと思うんですけれども。このウプトラビのロイヤリティ収入であったり、またその他収益ですか、為替差益などを考慮すると、少しアップサイドがあるように見えるんですが、この点はいかがでしょう。

中井 [A]：強含みで 4Q を経過することによって、年度末としてはこの今回修正させていただいた予想を上回るような形で着地できるように頑張りたいと考えております。と言いましても研究開発費は今回プラスで 20 億円立てておりますけれども、こちらもし繰り返しのなりますが核酸医薬以外にも開発のステージが上がることで研究開発がかかってくるということから、将来の成長に向けて研究開発投資をより一層積極的にやっていくというような当社の姿勢を、こういった数字に反映させているとご理解いただければと思います。

李 [Q]：ありがとうございます。今のこの R&D のところのフォローアップです。今回 20 億円を増額修正されました。上期決算のときに R&D を期初 395 億円から 350 億円、45 億円減額されて、上期のときには来年度、26 年度にこの影響がずれるとおっしゃっていたと思うんですけれども。今回増額された 20 億円というのは新規のものでよろしかったですか。もしくは来年発生するものが今期前倒しになったのか、この点だけ最後フォローアップさせてください。

枝光 [A]：ご質問ありがとうございます。枝光から回答させていただきます。今おっしゃられたとおり、いったん今年度発生する予定の研究開発費が来年度にずれたということでございましたけれども、それ以外の新しい品目にかかる費用も増額になったということでございます。

従いまして、その点について言えば、ある意味来年度の費用が前倒しになっていると考えていただいても結構ではないかと思います。以上です。

李 [M]：クリアになりました。ありがとうございます。私からは以上です。

武智 [M]：その他、アナリスト、機関投資家の皆様、いかがでしょうか。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。日経新聞社、足立様、よろしくお願いします。

足立 [Q]：日本経済新聞の足立です。中井社長にお伺いします。

アメリカのトランプ政権が薬価の引き下げを要求しているという動きがずっとあるかと思うんですが、この辺りの実現性というか、本当にそうなるのかというところの見通しと、あと御社への影響、特に来期になるかなと思うんですが、あるのかないのかというところをお伺いしたいと思います。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。トランプ政権のそういう最恵国待遇薬価等のいろんな政策が当社の品目にどのように影響するのかということについてのご質問と理解いたしました。

今、米国の政府がいわゆるメガファーマと呼ばれるような会社さんと、それぞれ最恵国待遇薬価に対してどのような対応をするのかというようなことを合意に至ったというような会社さんが、もうほぼ結構十数社、20社弱出てきているのかと理解はしております。

当社の製品で、ビルテプソは足元ではございますが、こちらについては今アメリカと日本で上市されている品目ですので、最恵国薬価の考え方からすると、直接アメリカの価格を下げなさいというような状況にはないかとご理解いただけるかと思います。

またもう一品、ウプトラビですね、ウプトラビの海外での販売は Johnson & Johnson 社に担っていただいておりますが、この1月、Johnson & Johnson 社は米国政府と価格面について合意をしたというような報道があったかと聞いております。その内容について、またウプトラビに与える影響につきましては現在精査中でございますので、そちらについては若干の影響があるかもしれないということがお答えできる内容かと思います。

また、今後の当社が開発、販売していく品目につきましても、そういったトランプ政権の価格に対する政策を十分に考慮に入れながら上市していく国等を考えていく必要があるということで、今、海外戦略なども検討しているところでございます。以上でございます。

足立 [Q]：ありがとうございます。今、最後のコメントについてですけれども。上市していく国を考慮していくというところを、もうちょっと詳しく、どのように考慮していくのか教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。例えば最恵国待遇の、いわば対象国となる地域や国が、例えばヨーロッパ、OECDの加盟している国から考えるとヨーロッパの諸国があります。ですので、ヨー

ロッパにわれわれとして進出する判断を下すに当たって、ヨーロッパでの上市を後回しにしてでもアメリカで展開する必要があるやなしやですとか、そういったことを考えていかなければならないということでございます。

足立 [M]：分かりました。ありがとうございます。

武智 [M]：続きまして、薬事日報社、栗山さん、よろしくお願いします。

栗山 [Q]：薬事日報の栗山です。

米国のビルテプソの売上について、これが若干減少した背景などは先ほどお話があったところですが、もうちょっと全体的な市場全体の動きなどをお聞きしたいと思います。米国での DMD 治療薬市場や競合薬の動向ですね、その中でのビルテプソの位置付けにつきまして、現状と今後どう推移するのかみたいな、その全体的な観点でお話いただけますでしょうか。

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使っている医師、先生方、また患者さんに対しての使用感については、非常に好意的な評価をいただいているとわれわれも感触を得ております。

ただ、先ほどの質疑応答でもございましたとおり、若干保険適用の更新審査が厳格化しているというような話につきまして、ビルテプソ発売から既にもう 5 年がたちまして、2026 年で 6 年目を迎えようとしています。

実際に投与された患者さんもビルテプソの投与で病態の進行はスローになったとか、そういう感触は得ているものの、やはりどうしても病態が悪化してしまって歩けなくなってしまったですとか、そういった患者さんが出てきて、それらの患者さんが保険審査が通らなくなっているというような状況に来ているということです。

これらを保険会社が判断する材料としてですとか、他にも承認された薬剤や治療法などがございますので、そちらを使ったらどうかということで、ますます品目が出てきますと、そういった競争環境が激しくなっている状況でございます。

そういった中で、当社としましてはビルテプソのそういう有効性、また何よりも安全である薬剤ということを十分に医療機関の先生方にご紹介しながら、この製品価値を最大化していきたいと考えているということでございます。

栗山 [M]：ありがとうございました。以上です。

武智 [M]：続きまして、薬事日報社、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。すいません。エルゾンリスについて、患者数が極めて少ないとありますが、これは何人ぐらいいらっしゃるって、今後の販売額の見込み、目安であったりとか、数字的な指標はあったりするのでしょうか。

岩田 [A]：それでは、岩田からお答えさせていただきます。極めて少ないということで、年間大体40例ぐらいが想定されています。売上に関しましては、まだ薬価が付いておりませんので、そこは何とも申し上げられないというような状況でございます。以上です。

岡田 [M]：分かりました。ありがとうございました。

武智 [M]：その他いかがでしょうか。JP モルガン証券、若尾さん、よろしくお願いします。

若尾 [Q]：すいません。一つだけ教えてください。今の米国のエクソンスキッピング薬に対する患者アクセスの政府の方針に関して何か変化があるかないかです。

12月の半ば頃に患者さんがRFK（ロバート・F・ケネディ・ジュニア米国保健福祉省（HHS）長官）と面談して、スキッピング薬のアクセスを変更しないでくれというのを頼んで、変更しませんとRFKが言ったというようなポストがあつて。これに関して弊社のJ.P. Morgan Healthcare Conferenceでも、サレプタ社の質疑応答のところでこういった議論がありました。

明確に会った会わないとか、RFKが言ったか言わないかみたいなことはよく分からないんですけども、割と患者アクセス、向こうもフェーズ3がうまくいってなくて、こちらもうまくいっていない中でも、そのアクセスが急に途切れてしまうような話にはならなそうであるというようなトーンだったんですが。何か御社がご存じの点とか、御社の今の見解に関してもしあれば教えていただけないでしょうか。

中井 [A]：ありがとうございます。われわれもそのJ.P. Morgan Healthcare Conference等でのサレプタ・セラピューティクス社のプレゼンテーションの中での質疑応答で、そのようなやり取りがあったことについて確認しております。

また、併せてそのポストされた内容にはサレプタ社製品のみならず当社のビルテプソについても記載があったことを確認しております。ただ、直接その方と、NS Pharmaがコミュニケーションを取ったですとか、その方を通じてRFKさんと直接対話をしたというようなことはございません。

米国の方針としまして、やはり治療法がないような疾患に対する薬剤への患者アクセスをしっかりと守っていこうということについては、方針として出ているようですし、それらの状況は米国もチームも感じてはいるということですので、しっかりとわれわれとしましては製品を閉ざさずに届け

るということ、また開発を迅速に進めることで対応していきたいと考えているということでございます。

若尾 [Q]：ありがとうございました。よく分かりました。以上です。

武智 [M]：それでは、ご質問がないようですので質疑応答セッションを終了いたします。

以上をもちまして、日本新薬株式会社、2025 年度第 3 四半期決算説明会を終了いたします。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。