

# 2025年度 決算説明会

2026年5月15日  
日本新薬株式会社

# 本日の内容

---

1

- ・2025年度の業績と2026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

2

- ・研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

# 2025年度の業績と 2026年度の業績見通し

代表取締役社長 **中井 亨**

## 2025年度の業績

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：3期連続増益

## 2026年度の業績見通し

売上収益：2,000億円（対前期比17.1%増）

営業利益：380億円（対前期比7.1%増）

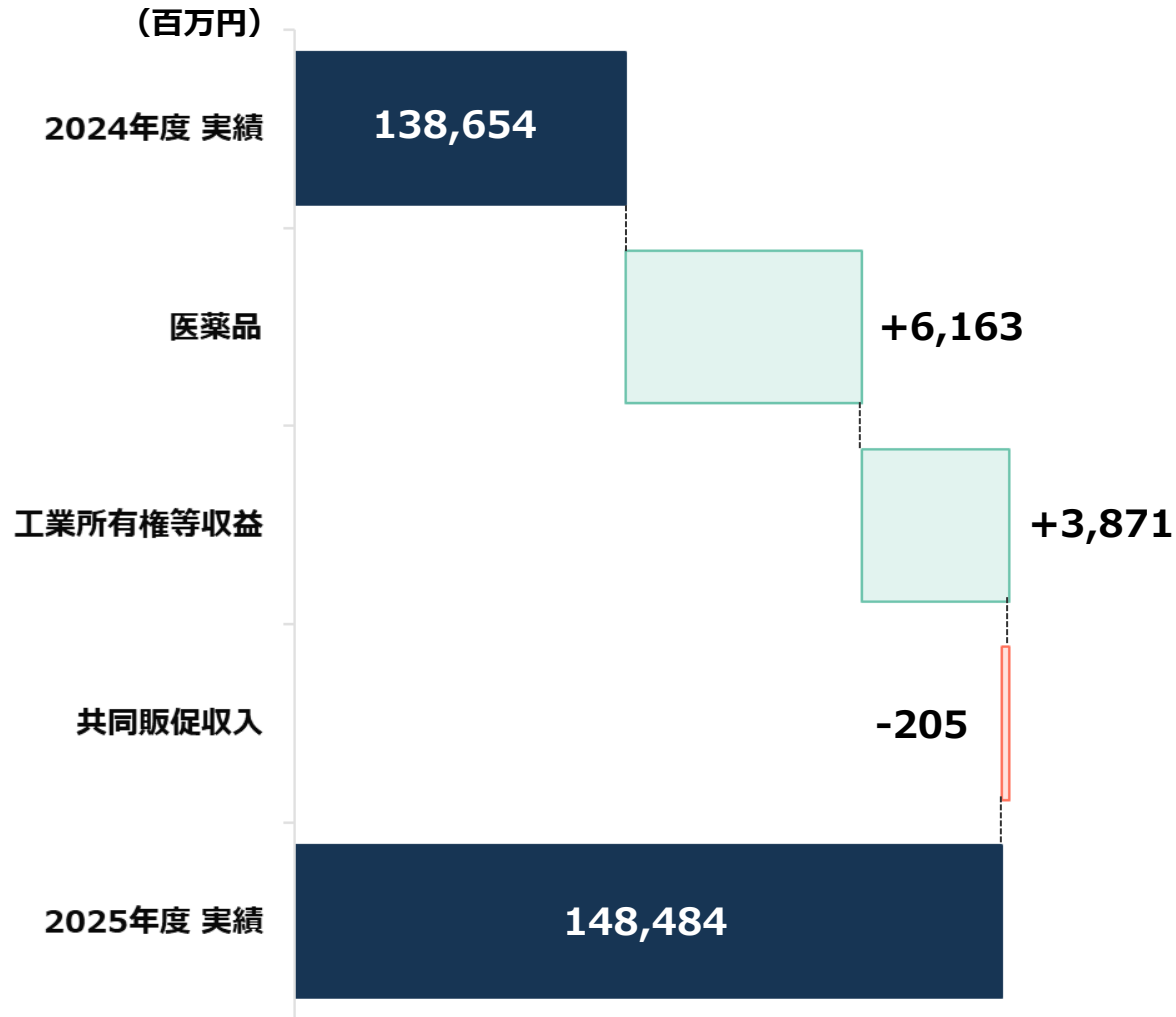
# 2025年度 概要

- ・ 医薬品・機能食品事業ともに伸長し、4期連続の増収
- ・ 利益面では売上原価、販管費の増加等により、営業利益は微増益。税率の変動に伴い、最終利益は減益

(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
<b>売上収益</b>	<b>160,232</b>	<b>100.0%</b>	<b>170,771</b>	<b>100.0%</b>	<b>+10,539</b>	<b>+6.6%</b>
（医薬品）	(138,654)	(86.5%)	(148,484)	(86.9%)	(+9,829)	(+7.1%)
（機能食品）	(21,577)	(13.5%)	(22,287)	(13.1%)	(+710)	(+3.3%)
売上原価	51,116	31.9%	57,460	33.6%	+6,343	+12.4%
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	43,565	25.5%	+5,554	+14.6%
研究開発費	34,341	21.4%	36,713	21.5%	+2,372	+6.9%
その他の収益	874	0.5%	3,025	1.8%	+2,151	+246.0%
（為替差益）	-	-	(2,265)	(1.3%)	(+2,265)	-
その他の費用	2,186	1.4%	560	0.4%	-1,625	-74.3%
<b>営業利益</b>	<b>35,450</b>	<b>22.1%</b>	<b>35,496</b>	<b>20.8%</b>	<b>+46</b>	<b>+0.1%</b>
金融収益	830	0.5%	1,132	0.7%	+301	+36.3%
金融費用	145	0.1%	166	0.1%	+20	+14.1%
<b>税引前利益</b>	<b>36,135</b>	<b>22.6%</b>	<b>36,462</b>	<b>21.4%</b>	<b>+327</b>	<b>+0.9%</b>
法人所得税費用等	3,577	2.2%	6,741	3.9%	+3,164	+88.5%
<b>親会社の所有者に帰属する当期利益</b>	<b>32,558</b>	<b>20.3%</b>	<b>29,721</b>	<b>17.4%</b>	<b>-2,837</b>	<b>-8.7%</b>

# 医薬品売上収益の内訳

- ・ 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 90,062百万円**  
(対前期比 +6,163百万円 +7.3%)

- ✓ ウプトラビ、フィンテプラ等の伸長
- ✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーションにより、当社製品売上に計上<sup>1</sup>

● **工業所有権等収益 49,457百万円**  
(対前期比 +3,871百万円 +8.5%)

- ✓ 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 8,964百万円**  
(対前期比 -205百万円 -2.2%)

- ✓ ユバンシが伸長するも、アーリーダが当社製品売上に計上<sup>1</sup>となり、全体では減少

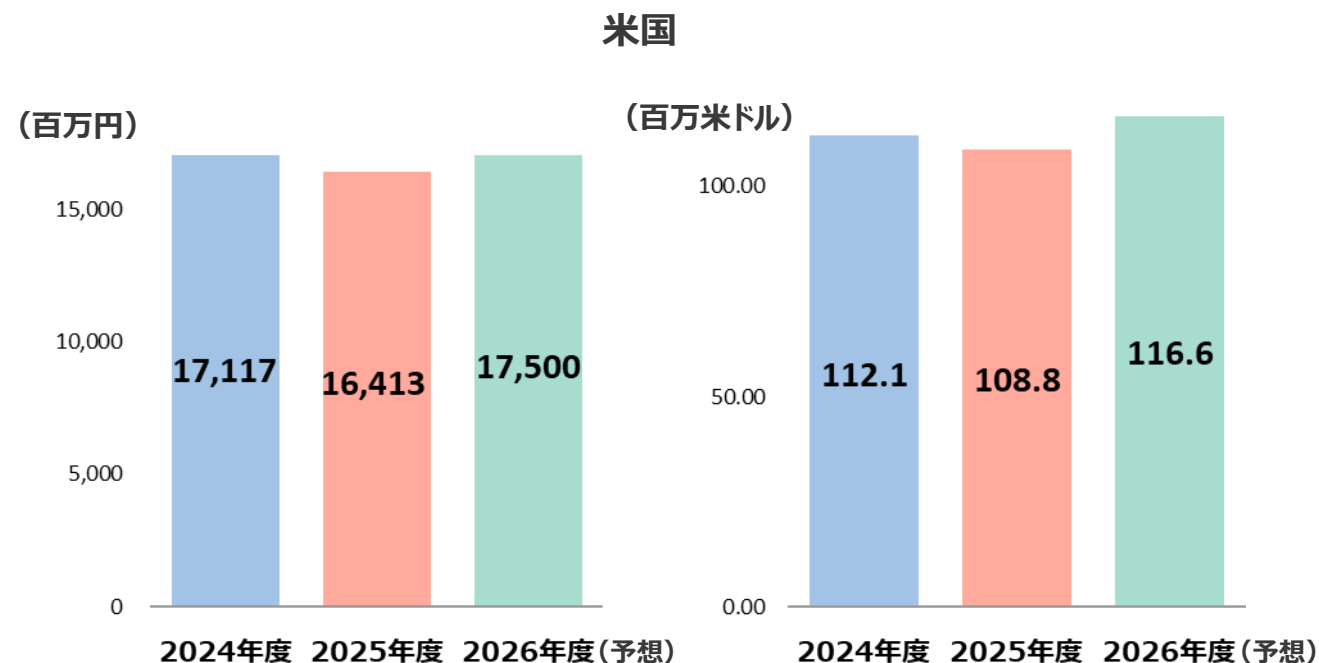
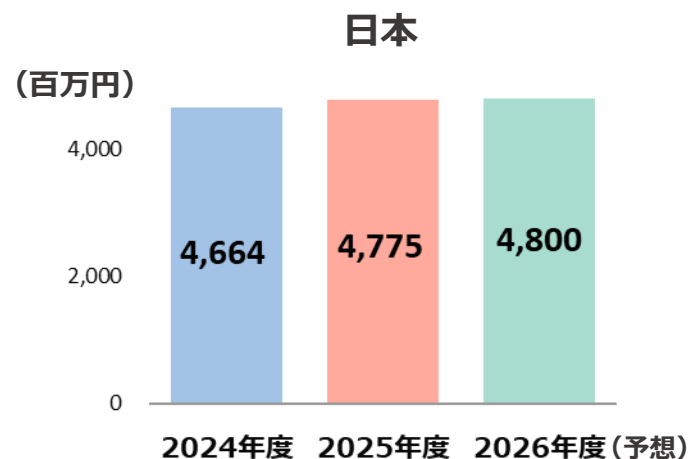
1. 従来共同販促収入として計上していたが、契約改定に基づき、2025年度下期以降は当社の製品売上および原価に計上している

# ビルテプソの売上

- ・ 米国では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し、前期比減少。今期以降は、新規投与患者の増加に加え、長期投与に伴う売上増加を見込む

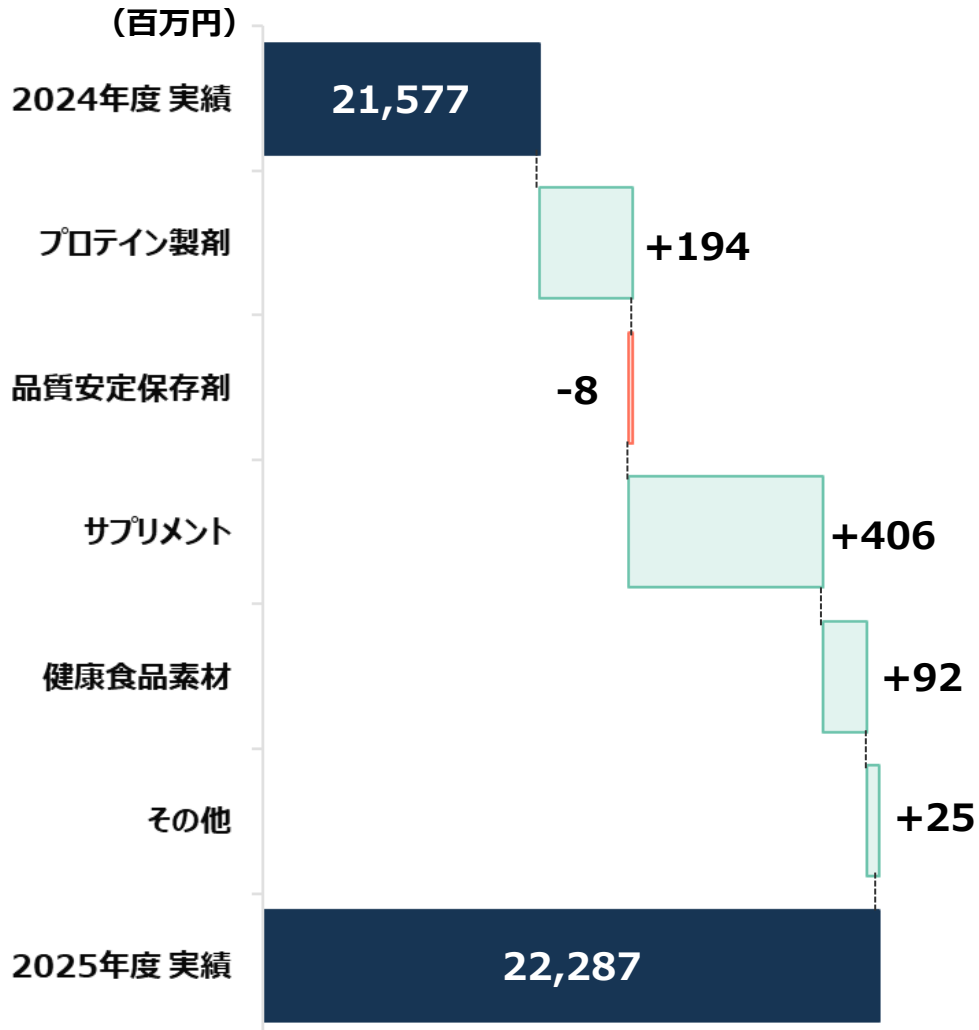
(百万円)	2024年度 実績	2025年度 実績	差異	増減率	2026年度 予想	コメント
日本	4,664	4,775	+110	+2.4%	4,800	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 現在投与中の患者数は中医協資料のピーク患者数128人の4分の3以上</li> <li>✓ 低年齢のエクソン53スキップ対象患者の早期発見・早期治療介入に取り組んでいる</li> </ul>
米国 (百万米ドル)	17,117 (112.1)	16,413 (108.8)	-704 (-3.3)	-4.1% (-3.0%)	17,500 (116.6)	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 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</li> <li>✓ 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したが、長期投与に伴い売上増加を見込む</li> </ul>
計	21,782	21,188	-593	-2.7%	22,300	

為替レート	2024年度 実績	2025年度 実績	2026年度 想定
円 (対米ドル)	152.6	150.8	150.0



# 機能食品売上収益の内訳

- 新製品投入や積極的な販売活動等により、全体として増収
- 品質安定保存剤は厳しい市場環境により減収



●プロテイン製剤 13,680百万円  
(対前期比 +194百万円 +1.4%)

✓ 卵たん白のシェア拡大や粉末プロテインの販売が好調

●品質安定保存剤 3,269百万円  
(対前期比 -8百万円 -0.3%)

✓ 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 2,821百万円  
(対前期比 +406百万円 +16.8%)

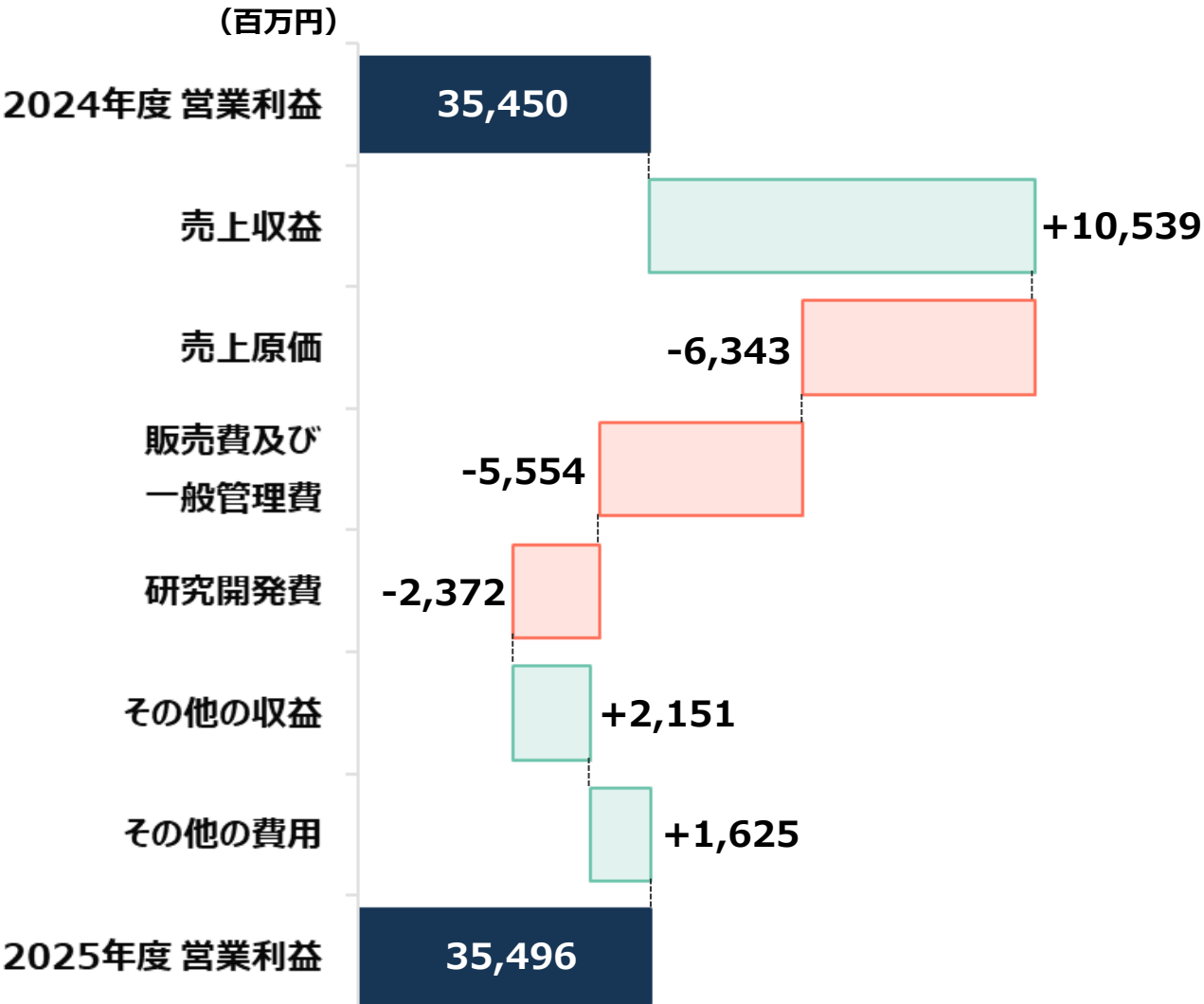
✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長  
✓ ジュニア向けや植物性たん白の新製品を2026年2月に発売

●健康食品素材 1,214百万円  
(対前期比 +92百万円 +8.2%)

✓ 美容関連製品の需要が拡大

# 営業利益

- 売上収益が増加するも、売上原価および販管費等の増加により、微増益



●売上収益 170,771百万円  
(対前期比 +10,539百万円 +6.6%)

- ✓ ウプトラビ、フィンテプラ等の伸長
- ✓ 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 57,460百万円  
(対前期比 +6,343百万円 +12.4%)  
原価率 33.6% : 1.7ポイント悪化

- ✓ 売上構成、薬価改定等により原価率悪化

●販売費及び一般管理費 43,565百万円  
(対前期比 +5,554百万円 +14.6%)

- ✓ 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

●研究開発費 36,713百万円  
(対前期比 +2,372百万円 +6.9%)

- ✓ 委託研究費や治験薬製造費用の増加等

●その他の収益 3,025百万円  
(対前期比 +2,151百万円 +246.0%)

- ✓ 為替差益の増加

# 予想損益計算書（連結）

(百万円)	2025年度		2026年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
<b>売上収益</b>	<b>170,771</b>	<b>100.0%</b>	<b>200,000</b>	<b>100.0%</b>	<b>+29,228</b>	<b>+17.1%</b>
（医薬品）	(148,484)	(86.9%)	(176,500)	(88.3%)	(+28,015)	(+18.9%)
（機能食品）	(22,287)	(13.1%)	(23,500)	(11.8%)	(+1,212)	(+5.4%)
売上原価	57,460	33.6%	73,000	36.5%	+15,539	+27.0%
販売費及び一般管理費	43,565	25.5%	47,500	23.8%	+3,934	+9.0%
研究開発費	36,713	21.5%	40,500	20.3%	+3,786	+10.3%
その他の収益	3,025	1.8%	1,000	0.5%	-2,025	-67.0%
その他の費用	560	0.4%	2,000	1.0%	+1,439	+256.5%
<b>営業利益</b>	<b>35,496</b>	<b>20.8%</b>	<b>38,000</b>	<b>19.0%</b>	<b>+2,503</b>	<b>+7.1%</b>
金融収益	1,132	0.7%	800	0.4%	-332	-29.3%
金融費用	166	0.1%	200	0.1%	+33	+20.5%
<b>税引前利益</b>	<b>36,462</b>	<b>21.4%</b>	<b>38,600</b>	<b>19.3%</b>	<b>+2,137</b>	<b>+5.9%</b>
法人所得税費用等	6,741	3.9%	8,300	4.2%	+1,558	+23.1%
<b>親会社の所有者に帰属する当期利益</b>	<b>29,721</b>	<b>17.4%</b>	<b>30,300</b>	<b>15.2%</b>	<b>+578</b>	<b>+1.9%</b>

## 差異理由

### 売上収益

- ✓ 米国で発売予定のCAP-1002の寄与
- ✓ 国内新製品群の伸長
- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入等の伸長

### 売上原価

- ✓ アーリーダおよびCAP-1002の影響

### 販管費及び一般管理費

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

### 研究開発費

- ✓ 委託研究費の増加

為替レート（対米ドル）は、2024年度実績が152.6円、2025年度実績が150.8円、2026年度想定が150.0円。2026年度予想の為替感応度は1円の円安で売上収益が約5.5億円増加、営業利益が約4.1億円増加を想定

# 医薬品売上収益予想の内訳

(百万円)	2025年度		2026年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
医薬品	90,062	60.7%	114,900	65.1%	+24,837	+27.6%
工業所有権等収益	49,457	33.3%	53,000	30.0%	+3,542	+7.2%
共同販促収入	8,964	6.0%	8,600	4.9%	-364	-4.1%
医薬品合計	148,484	100.0%	176,500	100.0%	+28,015	+18.9%

以下の要因等により増収を見込む

1. 米国での新製品発売：CAP-1002（deramiocel）
2. 国内新製品群の貢献：アーリーダ、フィンテプラ、ウプトラビ等
3. ロイヤリティ収入の伸長：ウプトラビの海外売上分

# 機能食品売上収益予想の内訳

(百万円)	2025年度		2026年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
プロテイン製剤	13,680	61.4%	14,200	60.4%	+519	+3.8%
品質安定保存剤	3,269	14.7%	3,400	14.5%	+130	+4.0%
サプリメント	2,821	12.7%	3,400	14.5%	+578	+20.5%
健康食品素材	1,214	5.4%	1,250	5.3%	+35	+2.9%
その他	1,302	5.8%	1,250	5.3%	-52	-4.0%
機能食品合計	22,287	100.0%	23,500	100.0%	+1,212	+5.4%

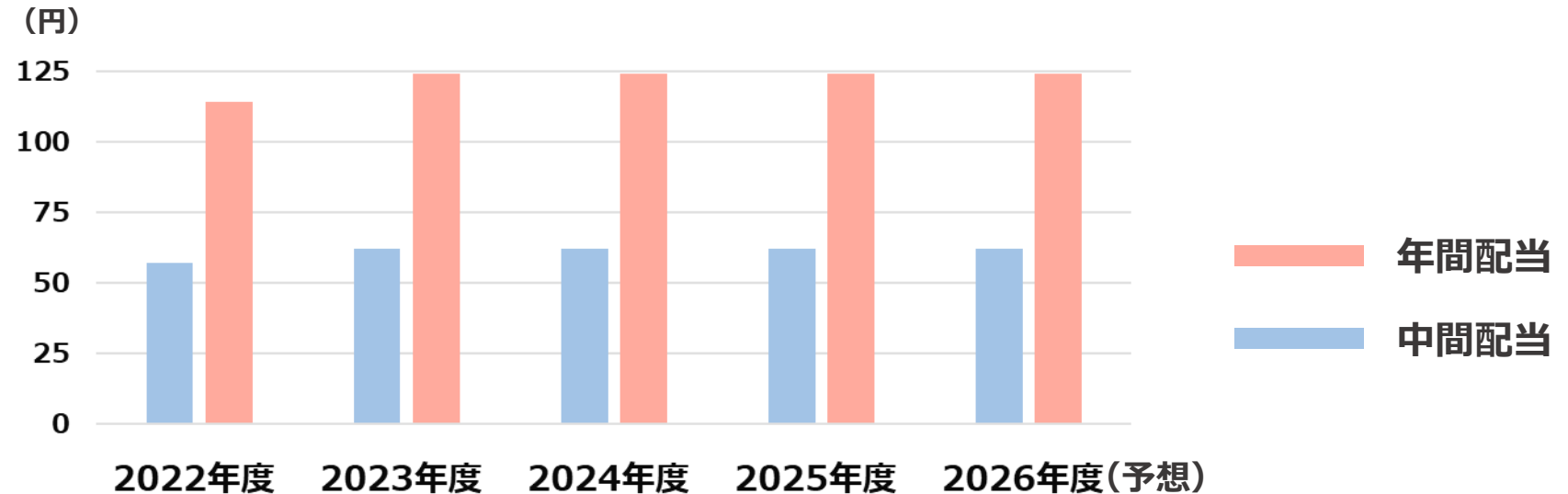
新製品開発・投入および重点品目への取り組み強化により、増収を見込む

# 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

	2025年度	2026年度（予想）
普通株式1株当たり配当金	中間配当金	62 円
	年間配当金	124 円
基本的1株当たり当期利益	441.00 円	449.55 円
配当性向（連結）	28.1 %	27.6 %
DOE*	3.1 %	-

\* Dividend on Equity ratio : 親会社所有者帰属持分配当率（連結）



# CAP-1002 (deramiocel) アップデート

# CAP-1002 (deramiocel) アップデート

## NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2026年5月8日

日本新薬株式会社

広報・IR部

各 位

### 当社に対する訴訟の提起に関するお知らせ

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、米国ニュージャージー州の裁判所において訴訟を提起されましたので、お知らせいたします。

#### 記

#### 1. 訴状提起日

2026年5月7日

#### 2. 訴訟提起に至った経緯

Capricor Therapeutics, Inc.（本社：米国カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor社」）より、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）心筋症を期待適応症として申請中のCAP-1002（deramiocel）について、米国における販売契約の解除等を求める訴えが当社および米国子会社であるNS Pharma, Inc.に対して提起されました。

#### 3. 訴訟を提起した者の概要

##### (1) 名称

Capricor Therapeutics, Inc.

##### (2) 所在地

10865 Road to the Cure, Suite 150, San Diego, CA 92121, United States

#### 4. 訴訟の内容

販売契約の解除等

#### 5. 今後の見通し

訴状はまだ当社に送達されておりませんが、現状理解しているところでは、Capricor社は、米国内でのderamiocelの上市に向けた現契約の改定対応や当社の販売準備が不十分であるなどと主張しているようです。

当社は、DMDの患者さんに対する治療が遅れることがないよう、それらの件に関して適切かつ真摯に対応していることから、Capricor社の主張は合理性を欠くものと認識しています。しかしながら、deramiocelの価値向上に向けたCapricor社との対話の道を、今後も閉ざすことなく継続していきたいと考えています。

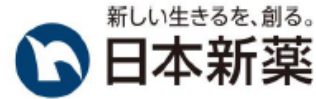
以上

- 日本新薬は、米国ニュージャージー州の裁判所において訴訟を提起された
- 当社は、DMDの患者さんに対する治療が遅れることのないよう、現契約の改定や販売準備に対して適切かつ真摯に対応しており、カプリコール社の主張は合理性を欠いたものと認識している
- 患者さんやご家族のことを第一に考え、今後もカプリコール社と対話を継続していきたい

---

# RGX-121 アップデート

## NEWS RELEASE



新しい生きるを、創る。

日本新薬

2026年5月15日

日本新薬株式会社

広報・IR部

各位

### REGENXBIO社のムコ多糖症Ⅱ型治療剤「RGX-121」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、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」)が開発中のRGX-121に関する規制当局対応の最新情報を開示しましたので、以下にお知らせいたします。

- ・ 米国食品医薬品局 (FDA) は、RGX-121 臨床試験の実施保留命令 (クリニカル・ホールド) を解除
- ・ REGENXBIO社は、RGX-121に関する審査完了報告通知 (CRL: Complete Response Letter) に対する申し立てを行い、今後の進め方について当局と協議を継続

RGX-121は、REGENXBIO社がムコ多糖症Ⅱ型 (MPSⅡ、ハンター症候群) の治療を目的として開発を進めている遺伝子治療薬です。当社は、2025年1月に米国におけるRGX-121の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。米国での承認取得後は、当社の米国子会社である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癒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](http://www.regenxbio.com)をご覧ください。

以上

- ・ リジェネクスバイオ社は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) を受けたが、その後解除された
- ・ また、同社は2026年2月にFDAよりCRL<sup>1</sup>を受領したが、その後申し立てを行っている
- ・ 当社は、これからもリジェネクスバイオ社と緊密に連携しながら、今後のスケジュールを検討

1. 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

# 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（2026年2月9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
発売	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	2026年3月
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	2026年1月
			303試験のプロトコルについてFDAへ照会中	
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
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	-	FDA（食品医薬局）が臨床試験の実施保留命令（クリニカル・ホールド）を解除	2026年5月開示（米国）
			FDA（食品医薬局）からCRL <sup>1</sup> を受領したが、その後申し立てを行っている	
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	-	FDAによるPDUFA date（審査終了目標日）が2026年8月22日（米国時間）に再設定された	2026年3月（米国）
申請中	GA101 (オビヌツズマブ)	ガザイバ	特発性ネフローゼ症候群	2026年5月
電子添文改訂			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試験開始	NS-304 (セレキシバグ)	-	閉塞性動脈硬化症	2026年4月
PⅡ試験準備中	NS-035	-	福山型先天性筋ジストロフィー	2026年1月
	NS-863	-	肺動脈性肺高血圧症	2026年3月
			間質性肺疾患に伴う肺高血圧症	2026年3月
PⅠ試験開始	NS-245	-	炎症性疾患	2025年12月

1. 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

# 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（2026年2月9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
共同研究契約	—	—	株式会社イクスフォレストセラピューティクスとRNA構造を標的とした創薬研究に関する契約を締結	2026年3月
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	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

# 參考資料

# 医薬品売上収益の内訳

- CAP-1002（deramiocel）の米国発売、およびアーリーダ、フィンテプラ、ウプトラビ等の国内新製品群の寄与
- ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入等の伸長

製品名 / 開発記号	適応症	2024年度 実績	2025年度 実績	差異	増減率	(百万円) 2026年度 予想
ビルテプソ		21,782	21,188	-593	-2.7%	22,300
(内、日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	(4,664)	(4,775)	(+110)	(+2.4%)	(4,800)
(内、米国)		(17,117)	(16,413)	(-704)	(-4.1%)	(17,500)
ウプトラビ	肺動脈性肺高血圧症 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	14,971	17,593	+2,622	+17.5%	19,200
アーリーダ	前立腺癌	-	5,961	+5,961	-	14,400
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病	5,139	5,742	+602	+11.7%	6,500
ガザイバ	CD20陽性の濾胞性リンパ腫 CD20陽性の慢性リンパ性白血病	4,821	5,076	+255	+5.3%	5,100
フィンテプラ	ドラベ症候群に伴うてんかん発作 レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作	2,067	3,980	+1,912	+92.5%	6,100
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群	2,364	2,514	+150	+6.3%	2,600
シアリス	勃起不全（ED）	2,425	2,221	-203	-8.4%	2,000
CAP-1002（deramiocel、米国）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	-	-	-	-	11,400
共同販促収入		9,170	8,964	-205	-2.2%	8,600
工業所有権等収益		45,585	49,457	+3,871	+8.5%	53,000
<b>医薬品合計</b>		<b>138,654</b>	<b>148,484</b>	<b>+9,829</b>	<b>+7.1%</b>	<b>176,500</b>
(薬価ベース)						
ジャイパーカ	マントル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	780	2,626	+1,845	+236.5%	

2026年度予想の  
為替感応度は  
1円の円安で売上  
収益が約5.5億円  
増加を想定

ジャイパーカの  
2026年度予想に  
ついては非開示

# 財政状況

(百万円)	2024年度 期末実績	2025年度 期末実績	差異		2024年度 期末実績	2025年度 期末実績	差異
資産	283,637	346,359	+62,721	負債	36,297	54,488	+18,191
(流動資産)	149,740	183,086	+33,346	(流動負債)	30,316	42,105	+11,789
(非流動資産)	133,897	163,272	+29,375	(非流動負債)	5,980	12,382	+6,401
				資本	247,340	291,871	+44,530
合計	283,637	346,359	+62,721	合計	283,637	346,359	+62,721

## = 資産の部 =

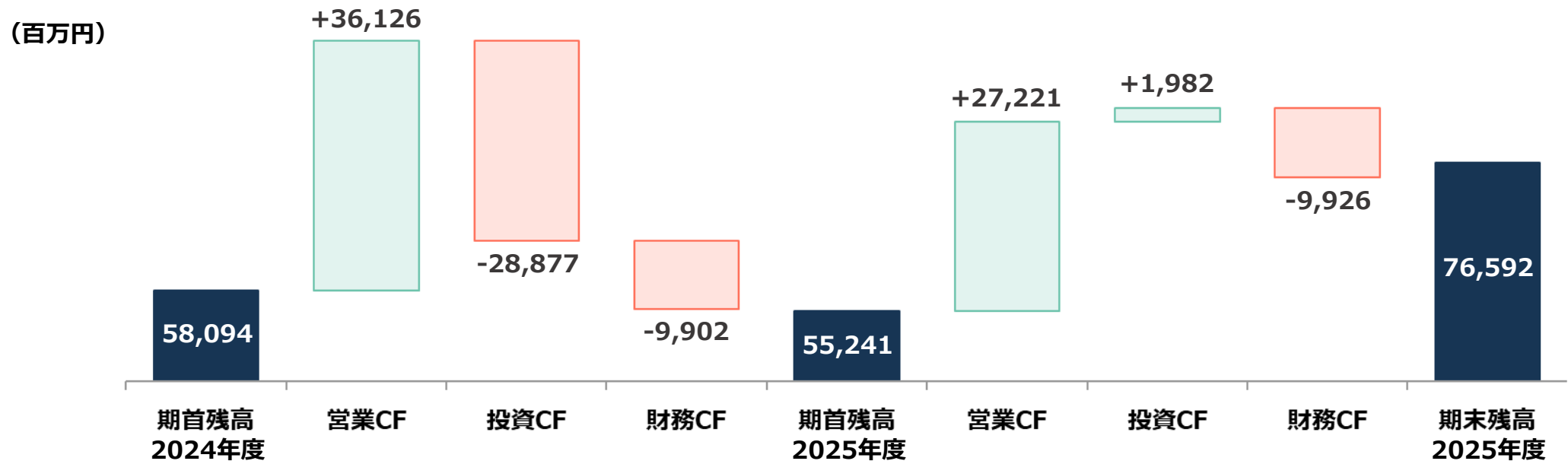
現金及び現金同等物	+21,351
営業債権及びその他の債権	+3,865
棚卸資産	+9,094
その他の金融資産（非流動）	+27,863

## = 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	+9,274
繰延税金負債	+5,875
利益剰余金	+24,050

# キャッシュフローの状況

(百万円)	2024年度 期末実績	2025年度 期末実績	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	36,126	27,221	-8,905
投資活動によるキャッシュ・フロー	-28,877	1,982	+30,859
財務活動によるキャッシュ・フロー	-9,902	-9,926	-24
現金及び現金同等物の期末残高	55,241	76,592	+21,351



# パイプライン (1/2)

※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

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	<a href="#">jRCT2080224893</a>
				—	米国	<a href="#">NCT04060199</a>
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコール・セラピ°ユーティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	審査終了目標 : 2026年8月	米国	<a href="#">NCT03406780</a> <sup>1</sup> <a href="#">NCT05126758</a> <sup>2</sup>
	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジ°エクスバイオ社	ムコ多糖症Ⅱ型	クリニカル・ホールド解除 <sup>3</sup> CRL受領 <sup>4</sup>	米国	<a href="#">NCT03566043</a>
	GA101 (オビヌツズマブ)	導入 中外製薬株式会社	特発性ネフローゼ症候群	申請: 2026年5月	日本	<a href="#">NCT05627557</a>
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	導入 <sup>5</sup> ユーシービー社	CDKL5欠損症	試験終了: 2026年度	日本	<a href="#">jRCT2041230015</a>
	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	<a href="#">jRCT2011210059</a>
			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	<a href="#">jRCT2071230031</a>
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス 日本イライリ-株式会社	マントル細胞リンパ腫	—	日本	<a href="#">jRCT2021210026</a>
			慢性リンパ性白血病	—	日本	<a href="#">jRCT2011210061</a> <a href="#">jRCT2041210150</a>
				—	日本	<a href="#">jRCT2021220024</a>
	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコール・セラピ°ユーティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国	<a href="#">NCT05126758</a>
NS-304 (セレキシバグ)	自社	閉塞性動脈硬化症	試験開始: 2026年度	日本	<a href="#">jRCT2071250134</a>	

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) を受けたが、  
解除された

4. 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。2026年2月に受領したが、その後リジェネクスバイオ社が申し立てを行っている

5. [日本における製造販売承認を2026年4月1日より承継](#)

# パイプライン (2/2)

※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

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
P II	NS-580	自社	子宮内膜症	一時中断	日本	<a href="#">jRCT2031210685</a>
			慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本	<a href="#">jRCT2031230134</a>
	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	<a href="#">jRCT2041250028</a>
					米国	<a href="#">NCT05996003</a>
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	<a href="#">jRCT2031230526</a>	
				米国	<a href="#">NCT06046222</a>	
P II 準備中	NS-035	共同 神戸大学	福山型先天性筋ジストロフィー	試験開始：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2031250857</a>
	NS-863	自社	肺動脈性肺高血圧症  間質性肺疾患に伴う肺高血圧症	試験開始：2026年度	日本	準備中
					米国	<a href="#">NCT07441200</a>
					日本	準備中
米国	<a href="#">NCT07441278</a>					
P I / 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	<a href="#">jRCT2041240060</a>
					米国	<a href="#">NCT06053814</a>
	ATSN-101	導入 アセ・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	<a href="#">NCT03920007</a>
RGX-111	提携 リジエ初歩イ社	ムコ多糖症 I 型	クリニカル・ホールド <sup>1</sup>	米国	<a href="#">NCT03580083</a>	
P I	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	<a href="#">jRCT2031210452</a>
	NS-025	自社	泌尿器疾患	試験終了：2024年度	日本	<a href="#">jRCT2031220474</a>
	NS-245	自社	炎症性疾患	試験終了：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2071250086</a>

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 －

<b>開発段階</b>	国内 発売 米国 発売 グローバルPⅢ継続試験
<b>オリジン</b>	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター (NCNP) との共同研究
<b>開発形態</b>	自社
<b>作用機序</b>	エクソン53スキッピング
<b>適応症</b>	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
<b>剤形</b>	注射剤
<b>特徴</b>	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%。

# CAP-1002 (deramiocel)

## － デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	〈デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症〉 申請中 〈デュシェンヌ型筋ジストロフィー〉 米国 PⅢ試験
オリジン	カプリコール・セラピューティクス社（米国） 米国：2022/1 提携契約 日本：2023/2 提携契約
開発形態	カプリコール社が実施
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

# R G X - 1 2 1 (clemidsogene lanparvovec)

## － ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 －

開発段階	米国 申請中
オリジン	リジェネクスバイオ社（米国） 米国：2025/1 提携契約 日本を含むアジア：2025/1 提携契約
開発形態	REGENXBIO社が実施
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

# G A 1 0 1 (オビヌツズマブ)

－ 特発性ネフローゼ症候群治療剤、ループス腎炎治療剤、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	〈特発性ネフローゼ症候群〉 申請中 〈ループス腎炎〉 PⅢ試験 〈腎症を伴わない全身性エリテマトーデス〉 PⅢ試験
オリジン	中外製薬株式会社 日本：2012/11 導入契約
開発形態	中外製薬株式会社と共同開発
作用機序	抗CD20モノクローナル抗体
適応症	特発性ネフローゼ症候群、ループス腎炎、 腎症を伴わない全身性エリテマトーデス
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

参考情報：日本における推定患者数は、特発性ネフローゼ症候群が約14,000人程度、ループス腎炎が約30,000人、腎症を伴わない全身性エリテマトーデスが約10,000人程度とされている。

# 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
オリジン	ユーシービー社 (旧ゾジェニックス社) 日本：2019/3 導入契約
開発形態	ユーシービージャパン株式会社が開発
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 <sup>o</sup> 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	経口服液剤
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。

## － 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 －

<b>開発段階</b>	<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>〈マントル細胞リンパ腫〉 〈慢性リンパ性白血病〉 PⅢ試験</p>
<b>オリジン</b>	<p>日本イーライリリー株式会社</p> <p>日本：2024/3 アライアンス契約</p>
<b>開発形態</b>	<p>日本イーライリリー株式会社が開発</p>
<b>作用機序</b>	<p>可逆的非共有結合型BTK阻害剤</p>
<b>適応症</b>	<p>マントル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病</p>
<b>剤形</b>	<p>経口剤</p>
<b>特徴</b>	<p>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</p>

参考情報：MCLの発症は、毎年、世界中の約20万人に1人とされている。CLLの国内総患者数は、政府統計 令和5年度患者調査によると、7,000人と推定される。

# NS-304 (セレキシパグ)

## － 閉塞性動脈硬化症治療剤 －

開発段階	PⅢ試験
オリジン	自社
開発形態	自社
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
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) の間歇性跛行患者数は約64～93万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	<p>〈子宮内膜症〉 PⅡ b試験 一時中断</p> <p>〈慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群〉 PⅡ a試験 一時中断</p>
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	<p>膜結合型プロスタグランジンE合成酵素-1 (mPGES-1) 阻害</p>
適応症	子宮内膜症、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群
剤形	経口剤
特徴	<p>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</p> <p>安全性の高い慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群治療剤として長期の疼痛コントロールが期待される</p>

## － デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

<b>開発段階</b>	グローバルPⅡ試験
<b>オリジン</b>	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター (NCNP) との共同研究
<b>開発形態</b>	自社
<b>作用機序</b>	エクソン44スキッピング
<b>適応症</b>	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
<b>剤形</b>	注射剤
<b>特徴</b>	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
オリジン	自社
開発形態	自社
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

参考情報：好酸球性多発血管炎性肉芽腫症（EGPA）の2024年度の厚生労働省衛生行政報告例数は8,669例

## － 福山型先天性筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	PⅡ試験準備中
オリジン	日本新薬と国立大学法人 神戸大学との共同研究
開発形態	自社
作用機序	エクソン・トラッピング阻害
適応症	福山型先天性筋ジストロフィー
剤形	注射剤
特徴	<p>正常なフクチンの産生を回復させることにより、筋機能改善効果が期待される核酸医薬品である</p> <p>福山型先天性筋ジストロフィーは日本人に特に多い遺伝性疾患である。本疾患を対象とした既承認薬は存在せず、世界初の根本的治療薬となることが期待される</p>

参考情報：福山型先天性筋ジストロフィーは日本人に特に多い遺伝性疾患。推定患者数は国内1,000～2,000人

## －肺動脈性肺高血圧症/間質性肺疾患に伴う肺高血圧症 治療剤－

開発段階	<p>〈肺動脈性肺高血圧症〉 グローバルPⅡ試験準備中</p> <p>〈間質性肺疾患に伴う肺高血圧症〉 グローバルPⅡ試験準備中</p>
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	PDGFR阻害
適応症	<p>肺動脈性肺高血圧症（PAH）</p> <p>間質性肺疾患に伴う肺高血圧症（PH-ILD）</p>
剤形	経口剤
特徴	<p>PDGFRに対し高い選択性を有するキナーゼ阻害剤</p> <p>血管拡張薬とは異なり、肺血管の閉塞を改善する肺高血圧症治療剤である。経口投与可能なため利便性の高い新規作用機序の肺高血圧症治療剤となることが期待される。</p>

－ 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
オリジン	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）との共同研究
開発形態	自社
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
オリジン	アトセナ・セラピューティクス社（米国） 米国：2024/11 導入契約 日本：2024/11 導入契約
開発形態	アトセナ社が実施
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P I / II 試験
オリジン	リジェネクスバイオ社（米国） 米国：2025/1 提携契約 日本を含むアジア：2025/1 提携契約
開発形態	REGENXBIO社が実施
作用機序	$\alpha$ -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 $\alpha$ -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
オリジン	デルタフライファーマ社 日本：2017/3 導入契約
開発形態	自社
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

## NS-025

開発段階	PI試験
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	非開示
適応症	泌尿器疾患
剤形	経口剤

## NS-245

開発段階	PI試験
オリジン	自社
開発形態	自社
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。

