



日本新薬

日本新薬株式会社

2025 年度決算説明会

2026 年 5 月 15 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 年度決算説明会

[決算期] 2026 年度 通期

[日程] 2026 年 5 月 15 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)
広報・IR 部 部長	井上 直己 (以下、井上)

登壇

井上：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。司会は広報・IR部の井上でございます。

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。

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

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年度の業績と2026年度の業績見通しに加え、CAP-1002や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いたします。

ポイント

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）

それでは、2025年度の業績と2026年度の業績見通しについて説明いたします。

まず初めに、こちらのスライドでは、本日の正午に開示しました決算のポイントをお示ししております。

2025年度の業績は、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。営業利益についても、3期連続で増益となりました。

2026年度の業績見通しについては、売上収益は前年に比べ17.1%増加の2,000億円、営業利益は前年に比べ7.1%増加の380億円を見込んでおります。

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		
売上収益	160,232	100.0%	170,771	100.0%	+10,539	+6.6%
（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%
営業利益	35,450	22.1%	35,496	20.8%	+46	+0.1%
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%
税引前利益	36,135	22.6%	36,462	21.4%	+327	+0.9%
法人所得税費用等	3,577	2.2%	6,741	3.9%	+3,164	+88.5%
親会社の所有者に帰属する当期利益	32,558	20.3%	29,721	17.4%	-2,837	-8.7%

それでは、ここから詳しく説明いたします。スライド5ページをご覧ください。

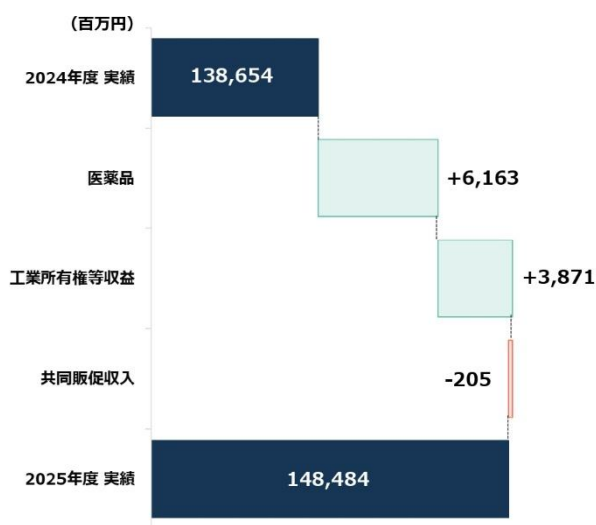
2025年度の業績の概要ですが、前年度と比べ、連結売上収益は105億3,900万円増加の1,707億7,100万円、営業利益は4,600万円増加の354億9,600万円、税引前利益は3億2,700万円増加の364億6,200万円となりました。

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当期利益は、28億3,700万円減少し、297億2,100万円となりました。

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¹

● **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%)

- ✓ コバンシが伸長するも、アーリーダが当社製品売上に計上¹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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 6

スライド6ページをご覧ください。

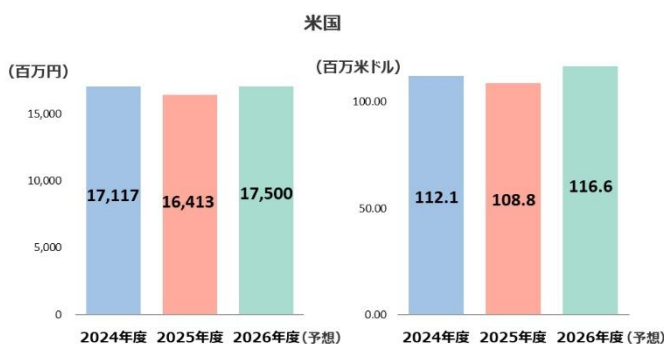
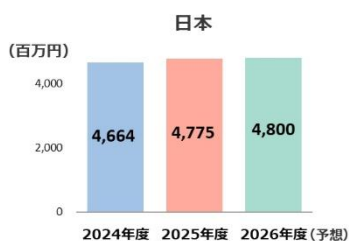
医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響があったものの、ウプトラビの国内売上および同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入や、フィンテプラなどの新製品群が伸長、また、契約改定に基づき昨年10月より当社の製品売上として計上しているアーリーダも寄与したことで、医薬品事業の連結売上収益は、1,484億8,400万円と、対前期比7.1%の増収となりました。

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	✓ 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)	17,117 (112.1)	16,413 (108.8)	-704 (-3.3)	-4.1% (-3.0%)	17,500 (116.6)	✓ 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 ✓ 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
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



NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 7

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。

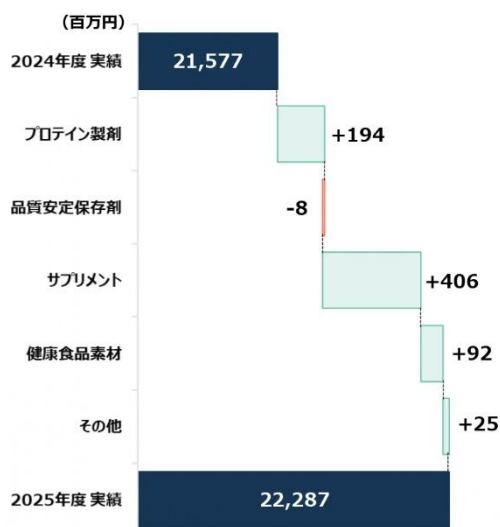
2025年度の売上実績は、日本国内で47億7,500万円、米国で164億1,300万円となりました。米国において前年度に比べ、ドルベースでも減少しています。複数の高額なDMD治療薬が上市されたことにより、保険審査が厳しくなってきたことが原因で、脱落してしまう患者さんがおられますが、新規の症例は継続的に獲得できています。

また、投与症例の若年化に伴い、1人当たりの平均投与量が減少していますが、長期の投与が期待されるため、売上の増加を見込んでいます。

以上の状況を踏まえ、2026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175億円を想定しております。

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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

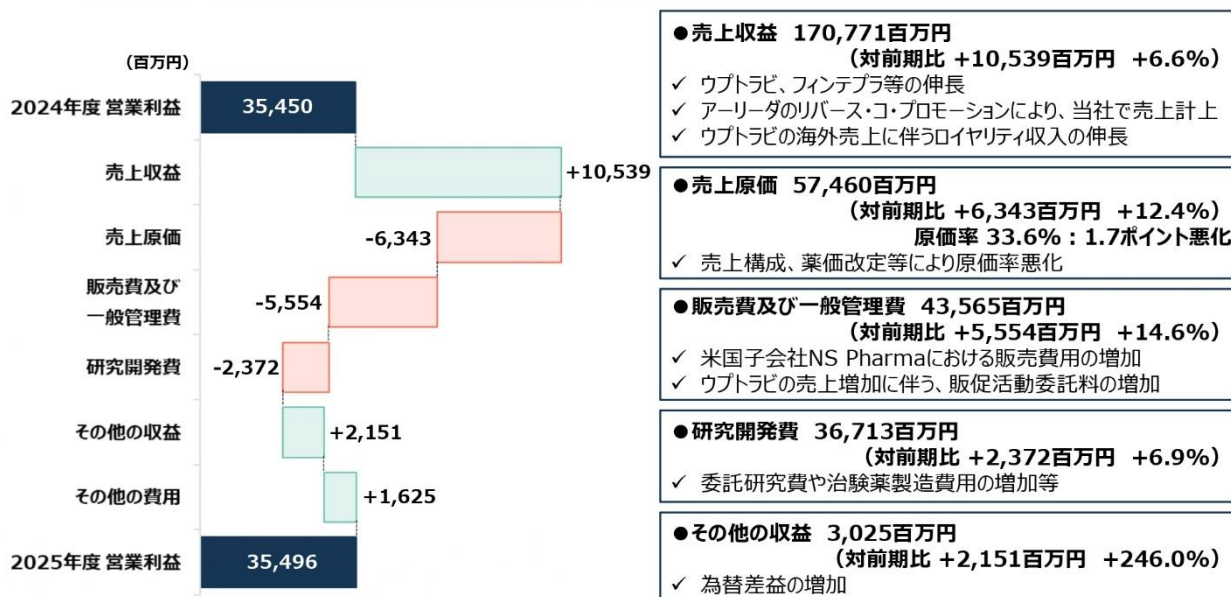
8

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、品質安定保存剤は物価高による買い控えなどの影響により減収となりましたが、プロテイン製剤、サプリメント、健康食品素材の売上が増加し、機能食品事業の連結売上収益は、222億8,700万円と、対前期比3.3%の増収となりました。

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



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期と比べ 1.7 ポイント悪化し、33.6%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、435 億 6,500 万円と、対前期比 14.6%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増加などにより、367 億 1,300 万円と、対前期比 6.9%の増加となりました。

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 354 億 9,600 万円と、対前期比 0.1%の微増益となりました。

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2025年度		2026年度		差異	増減率	差異理由
	実績	売上比	予想	売上比			
売上収益	170,771	100.0%	200,000	100.0%	+29,228	+17.1%	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
（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%	売上原価 ✓ アーリーデータおよびCAP-1002の影響
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%	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
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%	
営業利益	35,496	20.8%	38,000	19.0%	+2,503	+7.1%	研究開発費 ✓ 委託研究費の増加
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%	
税引前利益	36,462	21.4%	38,600	19.3%	+2,137	+5.9%	
法人所得税費用等	6,741	3.9%	8,300	4.2%	+1,558	+23.1%	
親会社の所有者に帰属する当期利益	29,721	17.4%	30,300	15.2%	+578	+1.9%	

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

10

スライド 10 ページをご覧ください。

続きまして、2026 年度の業績見通しについて説明いたします。

連結売上収益は 2,000 億円と、前期と比べ 17.1%の増収を見込んでいます。

営業費用について、売上原価率は 36.5%と、前期と比べて 2.9 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、新製品の発売準備に伴う NS Pharma での販売費用が増加するなど 475 億円を見込んでおり、研究開発費は、委託研究費の増加などにより 405 億円を見込んでおります。

その結果として、営業利益 380 億円、税引前利益 386 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益 303 億円と、前期と比べ増益を見込んでおります。

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

スライド 11 ページをご覧ください。

医薬品事業においては、売上収益 1,765 億円で、前期と比べ、18.9%の増収を見込んでおります。

米国にて年内に発売を予定している CAP-1002 や、アーリーダ、フィンテプラ、ウプトラビなどの国内新製品群に加え、ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入などが伸長すると見込んでいます。

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

スライド 12 ページをご覧ください。

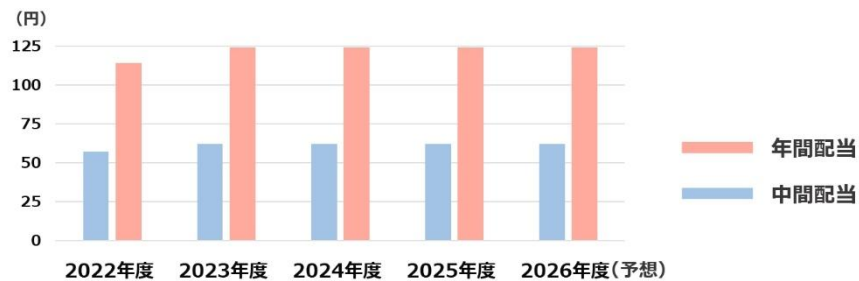
機能食品事業は、新製品の開発・投入に一層注力し、重点品目への取り組みを強化することで、売上収益 235 億円と、前期と比べ 5.4%の増収を見込んでおります。

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

	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)



スライド 13 ページをご覧ください。

2025 年度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、先の中間配当 1 株当たり 62 円と合わせて、年間 124 円を予定しております。

2026 年度の配当予想額につきましては、中間配当 1 株当たり 62 円、期末配当 1 株当たり 62 円とし、年間で 1 株 124 円を予定しております。

以上、2025 年度の業績と 2026 年度の業績見通しについての説明を終わらせていただきます。

CAP-1002 (deramiocel) アップデート

NEWS RELEASE

新しい生きるを、前る。
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機軸に関するお知らせ

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. 新状提起日
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
10665 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
新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の薬道向上に向けた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

出所：2026年5月8日 プレスリリース 15

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いたします。

スライド15ページをご覧ください。

5月7日にカプリコール社より、DMD心筋症を期待適応症として申請中のCAP-1002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に対して提起されました。当社が現状理解しているところでは、カプリコール社は、米国内でのCAP-1002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。

当社としましては、これまでもDMD患者さんに対する治療が遅れることのないよう、適切かつ真摯に対応し、発売に向けた準備を進めてまいりました。カプリコール社の主張は合理性を欠くものと認識していますが、患者さんやご家族のことを第一に考え、カプリコール社との対話を継続していきたいと考えています。

なお、先ほどご案内の2026年度の業績見通しには、CAP-1002の売上および販売費用を織り込んでおりますが、カプリコール社との訴訟の状況を踏まえ、必要に応じて見直してまいります。

RGX-121 アップデート

NEWS RELEASE

新しい生きる形。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

REGENBIO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、REGENBIO 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「REGENBIO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
- ・ REGENBIO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、REGENBIO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REGENBIO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ムス、社長:杉山 幸輝) が販売・販促活動を実施する予定です。

REGENBIO Inc. について
REGENBIO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、REGENBIO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.regenbio.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CRL¹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

出所: 2026年5月15日 プレスリリース 17

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

続きまして、ここからはRGX-121のアップデートについてご説明いたします。

スライド17ページをご覧ください。

RGX-121は、2026年1月にFDAよりクリニカル・ホールドを受けていましたが、その後解除されています。また、2026年2月に受領したCRLについては、その後、リジェネクスバイオ社が申し立てを行っています。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してまいります。

以上、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（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)	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 (ビルテア)	ビルテア	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	LY352727 (ビルトアルチニブ)	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
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 FDA（食品医薬局）からCRL ¹ を受領したが、その後申し立てを行っている	2026年5月開示（米国）
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

19

桑野：研究開発担当の桑野敬市です。続きまして、研究開発の進捗状況について、2025年度第3四半期の決算以降でアップデートした内容をご説明させていただきます。

スライド 19 ページをご覧ください。

NS-401（エルゾンリス）は、3月18日に薬価収載され、販売を開始しました。RGX-121のクリニカル・ホールドについては、解除になっています。また、CRLについてはリジェネクスバイオ社が申し立てを行っています。CAP-1002の状況については、先ほど中井から説明した通りですが、PDUFA dateについては8月22日に設定されています。

ガザイバは、昨日5月14日に中外製薬より、特発性ネフローゼ症候群に対して厚生労働省に適応拡大申請を行いました。NS-304（セレキシバグ）は、閉塞性動脈硬化症を適応症とする国内P3試験を4月に開始しています。

福山型先天性筋ジストロフィーの治療剤であるNS-035、それに加え、肺動脈性肺高血圧症、および間質性肺疾患に伴う肺高血圧症治療剤であるNS-863は、共にP2試験を準備中です。

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（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	—	デュシエ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 (プロギシルゼン)	—	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

INDOAL SHINYAKU CO., LTD. 20

それでは、スライド 20 ページをご覧ください。

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 2026 年 3 月に締結しました。本契約の締結において、当社は RNA 構造を標的とする低分子化合物の創薬および評価を体系的に進めてまいります。

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

井上 [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。電話から接続されている場合は、米印と9を押して挙手をすることができます。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。

シティグループ証券、山口さん、お願いします。

山口 [Q]：シティの山口です。ありがとうございます。ご説明ありがとうございます。

質問の仕方が難しいですし、訴訟の関係なのでいろいろ言いにくいとは思いますが、今おっしゃっていたことでの理解では、現状では契約は存在していますし、御社は御社で準備しているし、でも、向こうは向こうで、もうスタッフも雇って準備しているということを行っているんですけど。次は仮処分とか、いろんな動きあるかもしれないんですが、発言の中で、状況に応じて見直すとおっしゃったので、パッとそれだけ聞くと、売上が売れなくなってしまうのかなというようなニュアンスを感じるような発言でもあったのですけれど。

現状は、契約はそのままあるし、御社と向こうの間でも準備段階について話しているのでしょうか。それとも、いろんな意味での訴訟関係になってしまって、そういうのが切れたような状態になってしまっているのか。ちょっとなかなか聞きにくいですが、どうなっているんだというのは、皆さん、非常に興味が強いところなので、もうちょっと教えていただけますでしょうか。

中井 [A]：はい、ご質問ありがとうございます。

現在われわれは、販売準備を引き続き実施を行っております。先方からそういう訴状が、送達自身は米国時間の5月13日にNS Pharmaには送達されたんですけども、われわれとしては、きちんと発売に向けての準備は行っていきますし、両社の協業についても、こちらから必要なコミュニケーションは適切に取るように進めております。

実際に向こうも、こういう訴訟提起ということになりましたので、自社での活動ということで進めておりますけれども、当面は、仮差し止め命令を受けないようにわれわれは活動し、かつ差し止め命令が受けないというような判断がされたら、もうわれわれの活動は止めるべきがございませんので、発売に向けて準備が両社で進んでいく、という流れになるかと考えております。

山口 [Q]：ありがとうございます。

二つ目が、ビルテプソのフェーズIIIの部分については、今回、たぶんアップデートがなかったの
で、変化がなかったのかもしれないですけど、FDA との交渉を含めて、今どういうアメリカの状況になっているのかというアップデートがもしあれば、お願いできますでしょうか。

桑野 [A]：はい、桑野からお答えいたします。

今お話いただいたように、特にアップデートがないので今回ご紹介はなかったですが、引き続きFDA とコミュニケーションをとりながら前に進めたいとは思っています。現在のところアップデートはございません。

山口 [M]：はい、わかりました。ありがとうございます。

中井 [A]：一つ追加ですけれども、訴状の送達を受けたのは、NS Pharma で受けているということで、当社については、原則ハーグ条約に基づく送達が必要でありますので、ちょっと国をまたいだ送達になるので、数カ月かかるということで、NS Pharma に訴状が送達されたということで、併せて説明いたします。

山口 [M]：はい、ありがとうございます。

井上 [M]：みずほ証券、田中さん、お願いします。

田中 [Q]：みずほ証券の田中です。聞きにくいことではあるんですけども、訴状とかを見ると、中井さんと Marban さんの会談が3月の27日に行われて、その後PLDが提案されたりとか、修正されたりとかして、向こうが切れたというか、そんな感じがするんですけども。

そもそもビルテプソを販売しているのに、こういうアメリカのその償還のところで、向こうが問題あると思うようなことがあったのはなぜでしょうか、ということをもっと聞きたいんですが。

中井 [A]：はい、ご質問ありがとうございます。価格の設定に関する課題があるというような認識がされたのが、1年ほど前ですかね。1年前、2025年の3月ぐらいから認識されているという状況でございます、それを解決するすべとして、カプリコール社と日本新薬側で相互の契約修正の提案をしてきたということです。

ビルテプソの経験があるのに、なぜそういう状況になったのかですが、ビルテプソについては、日本新薬と NS Pharma 社での製品の、親子間での製品の受け渡しであるために、こういう問題が起こらない構造になっています。会社が違う企業で、協力して販売する場合に起こり得る、そういう価格設定の課題ということでしたので、両社とも、こういう状況になるというのは認識はしていなかった、というのが状況でございます。

田中 [Q]：実際、御社が4月10日の日に修正の提案をして、向こうから何か製品を取り上げようとした、みたいに向こうは訴状の中に書いているわけですけど、そうしないと償還は難しい、販売は難しいということですか。

中井 [A]：はい。あまりその辺りのやり取りで、お互いの会社がどう考えているのかという点については、説明はご容赦いただきたいと思うんですけども。あくまで当社日本新薬側が提案していました PLD モデルというものは、特にカプリコール社にとって不利益があるようなスキームの変更とは、われわれは考えていないんですよ。

米国当局に価格報告を行う一つのモデルとしての PLD モデルでございまして、主にバイオシミラーの販売のときにも行われる仕組みではあるんですけども、新薬においても複数のそういう PLD モデルを採用している事例があることを確認した上で、カプリコール社に提案してきました。

ですので、われわれとしましては、このスキームでやるのが、もともとのわれわれが結んでおります現契約の内容に沿った形での必要最小限の修正だということで、これが合理的だと考えて進めておった次第でございます。

田中 [Q]：はい、わかりました。仮差し止めというのは、どのくらいの期間で行われるのかわからないんですけど、御社はどのぐらいかかると思っているかわかりますか。そこは何か言えることはありますか。

中井 [A]：こちらは、もうニュージャージー州の裁判所から公表されておりました。これ、全て米国時間ですけども、NS Pharma は5月26日までに反対書面を提出しなければならないとなっております。それに対してカプリコール社は、6月2日までに答弁書を提出する必要があります。6月3日に審理期日が設定されている、というような今後のスケジュールとなっております。

田中 [Q]：6月3日に審議があるんですね。

中井 [A]：はい、その通りでございます。

田中 [Q]：わかりました。あと2点目が、桑野さんに聞きたいんですけど、さっきの質問ともダブるんですけど、ビルテプソのこのアップデートが、追加フェーズIIIのところは何で進まないのかは、何かわかることはありますか。もうサレプタは、たしか4月か何かに申請したんですよね。

桑野 [A]：はい、お答えいたします。サレプタ社の状況を、われわれ、詳細を全てわかるわけではないですけども、彼らもFDAとコミュニケーションをとっているようですが、実際面談が行われたかどうかは、ちょっと文面からは察せられないような状況で、ひょっとしたらわれわれと同じように書面でやり取りしているだけなのかなという気もしたりします。

ただ、他社さんのことはともかくとして、これは前回もお答えしましたが、こういうDMD治療剤、エクソンスキッピング治療剤全般をどう扱うかをFDAが慎重に考えている過程で、われわれへの返事も遅れていて。その辺りのことが、方針がはっきり決まったところで、両社に対してある程度まとまった回答があるんじゃないかな、というふうに、個人的には推測しているということです。以上です。

田中 [M]：わかりました。ありがとうございます。

井上 [M]：大和証券、橋口さん、お願いします。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。よろしくお願いたします。

そのカプリコールとの間で、PLDモデルを御社としては提案されたということですが、これは移行にあたって対価を払って権利を買い取りたいという意思表示をされた、ということでもいいのかと、このように訴訟にまで発展している中で、もしそうだとした場合、こういったような状況になっている中で、引き続きそういった意向は持っていらっしゃるかについては、いかがでしょうか。

中井 [A]：はい、ありがとうございます。特にわれわれが提案しているもので、ほとんど向こうにも不利益があるとは考えていませんし、われわれにとっても、そんな何かを持ち持ち出すというか、提案、提供してというようなものではなく、ただ単にどちらが当局に価格を報告するかという観点から、それに必要な契約の修正を話し合っておりました。

PLDモデルにおいては、価格の報告する主体がNS Pharmaとなっているんですね。カプリコールはそれが受け入れられないんだということです。彼らとしては、やはりCAP-1002は自分たちのものなのだ、という思いがあるようです。

PLDモデルを採用したからといって、決してわれわれとしてはCAP-1002をわがものにしようという意図は全くなく、両社対等なパートナーシップのもとで、開発・製造はカプリコール、販売・

マーケティングは NS Pharma、こういう枠組みを守った上で協業を進めていこうじゃないかと、先方にはずっと説明しておりました。

ただ、どうしても彼らとしては規制当局に、米国当局に価格報告を行う主体は自分たちでありたい、という主張をされて、なかなか契約の修正には至らなかったということでございます。

橋口 [Q]：ありがとうございます。そうしますと、現状、御社は DMD だけの権利、また日本・アメリカだけの権利ということで、将来的なポテンシャルと比べれば、適応症という意味でも、地域別という意味でも限定されていると思うんですけど、その他の部分について、権利を広げたいがために提案されたわけではない、ということよろしいでしょうか。

中井 [A]：はい、その理解で結構でございます。

橋口 [Q]：はい、ありがとうございます。2 点目が、この deramiocele の 114 億円という売上予想の前提についてお聞かせいただければと思います。発売時期、それから投与患者数、回数や価格等についてどのように想定されてこの数字になっているのかをコメントいただけないでしょうか。

中井 [A]：そうですね。年内に発売する予定ですよということについては、既にご案内、ご紹介させているかと思えます。その内訳ですね。

枝光 [A]：すみません、枝光でございます。今申しましたように、8 月 22 日が PDUFA date でございますので、その後当社としましては、できるだけ速やかに年内に発売したいと考えております。ちょっと詳細については、事務局から何か補足できることはございますでしょうか。

事務局 [A]：事務局よりお答えさせていただきます。詳細の患者さんの人数については開示はしておりませんが、3 カ月に 1 回投与の薬剤ということですので、年内に発売を予定しておりますので、一定の患者さんは 2 回目の投与に入られるということも見込んだ上での計画となっております。以上です。

橋口 [Q]：1 年前にご開示されたときは、73 億円だったと思います。そのときと比べて大きくなっている理由としては、一部の人は 2 回目もあるだろうと今おっしゃいましたが、あと為替もあろうかと思いますが、価格については修正はあるのでしょうか。

中井 [A]：はい、お答えします。発売時期のずれですね。今回は年内の想定としております。PDUFA が 8 月 22 日で、発売がそこから数カ月。前回は、PDUFA が 7 月かな。

枝光 [A]：8 月。8 月 31 日。

中井 [A]：でしたけれども、それに従って、ちょっと発売時期が違うということで、前回のご案内とのずれでございます。

橋口 [M]：はい、ありがとうございました。以上です。

井上 [M]：JP モルガン証券、若尾さん、お願いします。

若尾 [Q]：JP モルガンの若尾です。よろしく申し上げます。一つ目が、田中さんのご質問ところの確認ですが、仮差し止めの請求に関して、6月3日に審理の日があるということだったと思うんですが、即日結論が出るとお考えですか。

枝光 [A]：はい、枝光よりお答えします。6月3日に審理期日が設定されているというところですが、その日に即日に結論が出るかどうかまでは、現在のところわからないという状況です。ただ、いずれにしろ、もう速やかに出るだろうとは考えております。以上です。

若尾 [Q]：わかりました。続いて二つ目が、仮差し止め請求が棄却された場合、先ほど販売していくといったコメントがあったと思うんですが、一方で私の認識ですと、そもそも今の現在の契約ですと、経済上そもそもの課題があるので、販売は可能でも、実際にそれを行うことで両社にデメリットが生じると思うんですが、御社どのように理解されていますか。

実際販売していきますと、たぶんカプリコールの御社への卸価格がベースとなってASPが形成されていくと思いますので、最終的に御社もカプリコールも利益を生み出せないような状況になってくると思うのですが、教えていただけますと幸いです。

中井 [A]：はい、ありがとうございます。まず現契約のもとの価格報告、価格設定の課題は、カプリコールからNS Pharmaへの取引の価格が、いわば保険でカバーされる価格にされてしまうという課題がありました。

価格報告をする主体がNS Pharmaになれば、NS Pharmaから市場に販売する価格が報告する価格になるので、われわれとしては価格を報告する主体がNS Pharmaになるように契約を変えれば、この価格報告の課題はなくなるんでしょ、と提案しておりました。

ですので、現契約になると、どうしてもそういう価格上の課題が出てくるんですけれども、それを、そういう役割を変更することで、特に経済条件が変わるとか価格設定が変わるとか、そういうことがなく事業を進めることができるというふうに、われわれとしては非常に合理的な考えから提案しておったわけです。

そういうことで、今のご質問の回答となったかと思っておりますので、よろしく申し上げます。

若尾 [Q]：私が伺いたかったのは、つまり仮差し止めが棄却されても、結局、今の契約条件が修正されなければ、販売のしようがないと思うんですよね。

中井 [A]：はい。そこは修正する必要があると考えております。

若尾 [Q]：そうですね。わかりました。そうしますと、棄却されても、どこかの段階ではお互い歩み寄っていかないといけないということだと思えるんですけれども、一方で、訴訟自体は続くと思うので、仮に差し止めがされても、差し止めが棄却されて、かつ承認されても、今の状況が続いてしまうリスクがあると思うんですが、そのリスクにはどのように対処されていくんですか。

中井 [A]：患者さんにこの CAP-1002 が届かないことが、患者さんにとっても、また両社にとっても非常に良くない状態だとは認識しております。ですので、われわれとしましては、本当に患者さんに CAP-1002 が届くために何をしなければならぬか、ということも考えて、今後のアクションを起こしていくと。とっていくことになると思います。

具体的にどういうことが考えられるのかについては、お答えはご容赦させていただければということでございます。

若尾 [Q]：わかりました。ありがとうございます。そして、もう一つ教えていただきたいのが、ここまでいろいろご質問があったビルテプソの対応の状況においても、かつ、今回の CAP-1002 の、そもそも構造的に、もともとの契約に問題があったということからしても、どうしても御社の米国事業のレギュレーション対応であったり、コマーシャライゼーションの部分において課題があるように思うんですね。

なので、今、御社として NS Pharma に課題があるとお考えなのか。また今後、やっぱり遺伝子治療薬を含めて上市していく中で、米国事業はさらに重要になっていくと思うので、どのように米国事業を強化されていくのか、改めて教えていただけないでしょうか。以上です。

中井 [A]：今回のカプリコールとのこのような価格設定、また契約内容に関する課題については、今回そういう価格設定上の課題があることを掴んで、それに即した形で契約改定をしていくということにつきましては、カプリコールとはこのような状況になりましたけれども、かたや RGX-121 のリジェネクスバイオ社とは、PLD モデルで進めていくことについてもう合意をしておりましたので、決して PLD モデルがおかしなスキームではないんです。そこはカプリコール社との関係というところのマネジメントの課題だとは感じております。

その辺りは、アメリカ事業のリスクではないですけれども、これまで通り進めていきつつ、必要に応じた対応はとっていくとは考えております。米国事業が立ち行かないとか、そういう状況ではご

ざいませんで、カプリコールとの件についても、われわれはきちんと対応していける力があるとは考えております。

ビルテプソの件につきましては、FDA との協議も、今ちょっとまだお話できる状況にないということにはなっておりますけれども、ビルテプソの 301 試験から続く継続試験などの結果なども、FDA とのコミュニケーションの材料には使っていきたいと思っていますので、その辺りも、既に Regulatory Affairs の体制、また MD の補強などは十分にしておりますので、そこは適宜必要な組織構築はやっていきたいと考えております。

若尾 [M]：はい、ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：ジェフリーズ証券、山木田さん、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。ご説明ありがとうございます。しつこく大変恐縮ですけれども、カプリコール社との訴訟についてです。

御社側からの提案は PLD モデルということで訴状にも書いてあって、カプリコールはそれを拒否したというのは、いろんなところを書いてあるんですけれども、カプリコール側からも何か貴社に提案をしている、その内容は、現状は特にどこにも記載はないという理解は合っていますかね。まず 1 点目です。

中井 [A]：カプリコールは、カンファレンスコールでも公表していますけど、コ・コマースリゼーションという、共同商業化のやり方でどうか、ということで提案をしてきております。具体的な内容につきましては、言及は避けさせていただきたいということでございます。

山木田 [Q]：ありがとうございます。具体的な内容は非開示ということですが、先ほどちらっとコメントいただいた、どちらの提案も、どちらかに利益を求めるものではないとおっしゃったか、というのを確認したくて。つまり、これはカプリコール側の提案も、カプリコールの取り分を増やすような、御社に利益を求めるものではないという理解は、さっきのコメントの解釈についてお伺いしたいんですけれども、合っていますでしょうか。

中井 [A]：はい。そうですね。細かい話はできませんけれども、だいたいそんな、必要な修正を最小限にしていきたいという思いの中でやっております。

山木田 [Q]：ありがとうございます。最後 1 問だけ、ビルテプソについてです。上期のときに、2 月に情報を、ガイダンスを修正されて、下期には回復を見込んでいたかと思うんですけれども、結局、終わった期のガイダンスには届かず、今期また成長を予想されていると思うんですけれども。

米国の話ですね。これ、上期決算のときにコメントいただいたときと見通しの立て方で、何か違うところはあるのでしょうか。お願いします。

中井 [A]：そうですね。ビルテプソにつきましては、投薬していただいている患者数というものは、計画に沿った形で進捗してきました。それは脱落していく患者さんを補完する形で、新規の患者さんが乗ってくることで、トータルでの投薬患者さんの数ですけれども。

新たに投薬していただいている患者さんはすごく年が若いので、1人当たりの平均投与量が減少し、ですので、患者数では進捗は十分な数になっているんですけれども、1人当たりの平均投与量が減った分、金額に、売上に大きく貢献しなかった、というところが結果としての状況でございます。

なお、若くして投薬されるということは、その後ずっと投薬されると。投薬される期間が長いことを意味しますので、今後の成長には貢献してくれるのかなという期待を持って、この計画とさせていただいているということでございます。

山木田 [Q]：わかりました。ということは、患者全体の平均年齢が低くなっているのです、脱落というのは、前期は脱落した結果マイナスになりましたけれども、今期はプラスに持っていける想定ということで。それぐらい平均年齢が若くなっているということでしょうか。

中井 [A]：そうですね。若い患者さんは脱落までの期間が長いですから、その分ずっとビルテプソを使っただけの期間も長いということで、それが累積していく、という考え方でございます。

山木田 [M]：はい、ありがとうございます。私からは以上です。

井上 [M]：SMBC 日興証券、和田さん、お願いします。

和田 [Q]：日興証券、和田です。ありがとうございます。私は、deramiocel の売上と利益についてお伺いしたいです。この売上規模であれば、今の経済条件が続けば利益が出るというご計画でしょうか、というのがシンプルに伺いたいです。

中井 [M]：今年度に限った話？

和田 [M]：はい、そうです。おっしゃる通りですね。114 億円でということですね。

中井 [A]：114 億円の貢献が年末以降の最終四半期での貢献だけですけれども、販売費用は通年でかかってきますので、2026 年単体で言いますと、特に大きな収益貢献はないです。でも、それが通年で推移していくことになれば、利益にしっかりと貢献してくれるような条件、経済条件となる構造となっています。

和田 [Q]：ありがとうございます。あともう一点、RGX-121 ですね。スライドもいただいているので。これが結論、承認される可能性があるのかどうか、みたいなのところをお伺いしたくて。直近 FDA の所長さんであるとか、長官あたりも変わっているかなと思っているんですけど、それを含めて、FDA の対応状況とかが変わっているとかというところは、お感じになられているのでしょうか。

中井 [A]：長官が辞められたのは、ほんの最近の話ですので、その影響がどうなるかということ、ちょっとわれわれも認識がつかめてはいないんですけれども。申し立てを行った背景としましては、いわば RGX-121 が承認しなかった CRL を受領したものと、他の製品が、かたや承認されているということについて、やはり FDA の審査の判断として、少しちょっと整合性が取れていないんじゃないか、という課題感が FDA の中でもあると聞いておりますので、そこら辺をきちんと FDA の体制の中で、整合性を取った判断をしていかなければならないね、という認識も十分に今なされているというように、リジェネクスバイオ社からは聞いているということでございます。

和田 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：SBI 証券、川村さん、お願いします。

川村 [Q]：ご説明ありがとうございました。SBI 証券の川村です。ありがとうございます。本当にしつこくて恐縮ですけれども、CAP-1002 についてフォローアップで教えてください。

今までの質疑応答を聞いていたり、カプリコールの 1Q の決算でしたかね。あれを見ると、御社は PLD モデルを望んで、先方は共同商業化を望んでいたと。カプリコールは諸々の規制当局との関係とかイニシアチブのところにお社が入るのが耐えられなかった、みたいなことを確かコメントしていたと思うんですけども。

これ、どちらの提案も利益的には歩み寄るような提案の中、御社はカプリコールの提案のどこが一番受け入れられなかったんでしょうか。

中井 [A]：それは、カプリコールの提案の内容をここでお話することになってしまうので、共同商業化のスキームの詳細については、ちょっと公表を控えていることから、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。

川村 [Q]：はい、わかりました。あと、これいろんな不確定要素が出てきてしまっている中、今後のプラン B 的なものでしたり、われわれに対して今後どうなっていくかというものを具体的に説明できるタイミングって、いつ頃になるんでしょうか。

判決が即時出る・出ないとか、長引くとかっていろいろあると思うんですけども、何かもう少しわれわれに、具体的に御社の将来像をきちんと説明できるタイミングって、いつぐらいになるかを最後教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。そうですね。まず裁判所のこういった命令に対応するというところで、差し止め命令を受けないように活動いたします。その状況次第で、今後のこの CAP-1002 の状況についてもわかってくるかと思えます。

また、カプリコール社とどのようにこの CAP-1002 を協業していくのかという話し合いも、それは裁判所の判断次第ですけれども、行うことになるだろうと思えます。

われわれとしては、カプリコールも繰り返し言っていますけれども、CAP-1002(deramiocel)を患者さんのもとに一刻も早く届けたいという思いは一緒です。向こうは NS Pharma が販売準備をしてない、十分じゃないという話はされていますが、そこは、ビルテプソの販売経験を NS Pharma は5年以上持っています。

アメリカの DMD 領域においても確固たる実績を持っていますので、そこについては今後の趨勢、カプリコールが自社じゃなきゃできないということにはならないかと。主張は当たらないと考えています。NS Pharma としては遅滞なく準備を進めていますし、販売体制に対しても進捗は進んでいるということです。

ご質問の、今後どのタイミングでアップデートがあるのかにつきましては、カプリコール社との状況がわかり次第、それでその方向性が見えたら、適宜適切にご説明する機会は設けたいと考えております。

川村 [M]：はい、わかりました。ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：2 回目の挙手をしていただいている方もおられますが、お時間の都合上、アナリスト・機関投資家の皆様からのご質問は次で最後にさせていただきますと思います。

モルガン・スタンレーMUFJ 証券、李さん、お願いします。

李 [Q]：はい。モルガン・スタンレーの李です。ちょっとお時間もあれなので、私は1問だけ。新年度のコストの前提について教えてください。

まず R&D、今回増額されています。これ、ビルテプソの Phase III、追加の Phase III 試験、303 試験かと思うんですけども、この開始にかかる費用が織り込まれているのが1点目。また、SG&A も今回増額されていますが、CAP-1002 にかかる販売費用ですね。こちらがいくら織り込まれているのか。YoY で結構増額されていると思うんですけども、この2点、教えてください。

枝光 [A]：枝光でございます。一つ目のビルテプソに関しましては、先程来状況を説明しておりますので、その状況がどうなるか次第でありますけれども、当社としまして、こういったタイミングでこうなるんじゃないかという、一つの仮定ですね。それを置いて研究開発費を算出しているところでございます。

それから二つ目のご質問については、先ほどご説明申し上げました通り、今年度に限りましては、売上、それから費用を考えますと、業績、利益への影響はあまり大きくないといえますか、そういう状況だと。ちょっと具体的な費用がいくらというところは勘弁していただければと思います。以上です。

李 [Q]：ありがとうございます。追加でフォローアップさせてください。サレプタが追加の Phase III をやらずに、通常申請に持っていきまされたけれども、御社としてもそこはうまく対応した方がいいのかなと私は思っているんですが。仮にここの Phase III がなくなったら、R&D は減額が想定されると。

加えて、あってはいけないと思うんですけれども、CAP-1002 が仮に今年発売できなかったとしても、この今期の営業利益の計画にはあまり影響はないと。どちらかというプラスに働く可能性もあるのかなと思ったんですけど、そういう理解で合っているか教えてください。最後です。以上です。

中井 [A]：はい。そうですね。ビルテプソの追加 Phase III がいらぬ、必要ないとなった場合は、その分は費用から削除できるとは考えております。

CAP-1002 についても、ご質問の内容の通り、売上にも貢献しないし、費用からも削除することになりますので、それがなくても、営業利益ベースでは、CAP-1002 が売上、そして費用からなくなったら、たぶん営業利益には中立な状況になるかと考えております。

李 [Q]：はい、ありがとうございます。ちなみに、その Phase III のところですけど、やっぱり御社としてはサレプタの例を見て、そういうふうに関わりかける、そういう考えはお持ちですか。

桑野 [A]：はい。そういう可能性も含めて、柔軟に考えていきたいと思っています。

李 [M]：はい、ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：それでは、ここからは報道関係者の方からのご質問をお受けいたします。ご質問のある方は挙手ボタンを押してください。また、ご質問される際には、会社名とお名前を述べられた上でご発言くださいますよう、お願い申し上げます。

薬事日報社、クリヤマさん、お願いします。

栗山 [Q]：薬事日報の栗山です。ちょっとしつこいようであれですけれども、deramiocele につきまして、中井社長から、現契約の下での価格設定の課題は、カプリコールから NS Pharma への取引価格が保険でカバーされる価格になってしまうという課題があった、というご発言がありました。

これについて私の理解としては、カプリコールから NS Pharma への卸値が、いわゆる保険償還価格になってしまう、つまり販売価格になってしまうので、想定しているような販売価格で売れなくなってしまう。それによって経済的に成り立つ形での医薬品提供ができなくなってしまうという、そのように理解したんですけれども、そういう理解でよろしいのでしょうか。

中井 [A]：はい。そのご理解で結構です。

栗山 [Q]：わかりました。これ、契約締結時には、こういう課題の認識はなかったのでしょうか。

中井 [A]：はい。そういう認識ではございませんでした。

栗山 [Q]：わかりました。もう 1 点だけ。これまで deramiocele の発売に向けて準備を進めてこられたということですが、具体的にどのような準備を行ってきて、そこにどのぐらいの費用を投じてきたのかということ。今回の訴訟を踏まえて、それでも継続している準備であるとか、あるいはちょっと一時中止している準備であるとか、そういった準備についての状況と、訴訟の影響をちょっと教えていただけますでしょうか。

中井 [A]：準備状況、いろいろな発売準備の作業は細かいので、特に今回は説明はしませんけれども。人員の採用などを例にとりますと、先ほども申し上げましたが、いわば営業部門、コマーシャルと呼びますけれども、コマーシャルの人員としましては、もう採用活動は順調に進んでおりまして、体制構築はほぼ完了しているんですね。

そういう状況で、昨年度、終わった年度ですね、25 年度では、NS Pharma でも 40 名増加させておりますので、そういった状況です。ですので、十分人員的にも deramiocele といいますか、CAP-1002 の発売上市に十分な体制を既に整えているということでございます。

これはいくらぐらいなのか、ということについては、ちょっとご容赦いただければと思います。

栗山 [Q]：わかりました。そうすると、訴訟を踏まえて一時中止する準備とかいうことについては、もう既に準備は整っているので、準備体制については、もう既に完了しているものである、という受け止めでよろしいですか。

中井 [A]：そうですね。ほぼほぼ体制構築は完了しているのご理解いただければと思います。

あとは、本当に必要な作業をしていく。それに対して必要な費用をかけていくということでございますので、先方の販売体制構築、販売準備については、不足しているとか不十分であるという指摘は、合理性に欠けているとわれわれは感じているということでございます。

栗山 [M]：わかりました。ありがとうございました。以上です。

井上 [M]：日本経済新聞、石井さん、お願いします。

石井 [Q]：ありがとうございます。日本経済新聞の石井と申します。前期の25年度の業績についてお尋ねします。増収にもかかわらず純利益が減少した背景について、販管費や研究開発費や薬価の改定などあると思うんですが、コストについてどのように見ておりますでしょうか。

枝光 [A]：枝光でございます。今のご質問の意図がちょっとわからないんですけど、どのように見ておりますというのは、当社としては計画通り使用したということで、回答になっているのでしょうか。

石井 [Q]：ありがとうございます。前年同期に比べると、純利益が9%減少していると思うんですけど、そのどのれが特に大きく影響したとか、そういったところはございますでしょうか。

枝光 [A]：失礼しました。当期純利益の話ですね。当期純利益に関しましては、前年度の特殊要因が影響してございます。すなわち、前年度に子会社 NS Pharma におきまして繰延税金資産の収益性が認められたことによって、一時的に税負担が軽減されたという事象の反動でございます。今後は、この水準で当面推移するという状況でございます。以上です。

石井 [Q]：ありがとうございます。あともう一点お伺いしたいんですが、CAP-1002 について、訴訟の問題もあると思うんですが、試験結果がよかったのに承認が下りなくて、利益が見込めないということは、想定されているということでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。試験の結果は、Phase III の結果は非常に良好な結果が出ましたので、それでまた今、審査の時計が動いておりまして、承認する・しないの判断が8月22日に予定されております。

われわれとしましては、承認はされると期待しているということでございますので、承認されないとか、そういうような考えは持っていないということでございます。

石井 [M]：ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：京都新聞、高山さん、お願いします。

高山 [Q]：京都新聞の高山です。いちおうお伺いするんですけども、今期の業績見通しにおいて、何か中東情勢の影響は織り込んでおられますでしょうか。

中井 [A]：はい、ご質問ありがとうございます。特に医薬品事業、機能食品事業ともに、大きな影響を織り込んではいません。以上でございます。

高山 [Q]：わかりました。もう1点だけ。Deramiocelを除いて、今期の御社のビジネスの全体に関しては、社長、ちょっと一言コメントをいただけますか。

中井 [A]：はい。今期は deramiocel については、売上予想が114億と予想しております。それがなかった場合、売上計画の2,000億円から114億が取られるということと、販売にかかる費用ですね。販管費も deramiocel にかかる費用も合わせてそれを取り除くこととなりますと、今期の業績への影響については、営業利益自体は特に大きな影響はないということで、今回、本日も案内いたしました営業利益380億から大きく変わるものではないとご理解いただければと思います。

高山 [M]：わかりました。ありがとうございます。

井上 [M]：日刊薬業、下村さん、お願いします。

下村 [Q]：日刊薬業、下村です。2025年度までの中計の関係でお話をお聞きしたいんですけども、今回いろいろお話がありましたけれども、その状況を踏まえても、中計の達成は見込めると認識をされておられますでしょうか。

中井 [A]：はい、ありがとうございます。はい、中計の達成を見込んでおります。

今回カプリコールの件で、ちょっと訴訟の提起がございましたので、あまりCAP-1002がどうなるのかということについても、長期的な見通しを示すことを今回は控えましたけれども、実際にわれわれとしては、きちんとそれを販売していくということで考えておりますので、それが進むことを前提としまして、中期経営計画の達成は十分可能だと考えているということでございます。

下村 [Q]：ウプトラビのпатентクリフ等も乗り切れるという認識でよろしいのでしょうか。

中井 [A]：はい。そのように考えております。

下村 [M]：ありがとうございました。

井上 [M]：日経バイオテック、河内様、お願いします。

河内 [Q]：日経バイオテックの河内です。RGX-121についてですけども、これから再申請に向けて、臨床試験を継続しながら追加データを取得していく方針なのか、それとも新たにプロトコル見直しなども含め、全く新しい試験になる可能性もあるのかを教えてくださいませんか。

中井 [A]：はい、そうですね。RGX-121、これ、遺伝子治療ですので、今投薬している患者さんに対しては PhaseIII に向けても、そのまま引き続きそれを観察することで、試験としては成り立つのかなという考え方と、また今後 FDA との交渉というか、協議が始まりますので、その中でどういう試験が必要なのかということや、どういうデータが必要なのかというところがはっきりしてくると考えておりますので、今のところはそれぐらいしかお答えできないということでございます。

河内 [Q]：ありがとうございます。これから FDA と協議をするという段階だと思うので、承認のスケジュールが延びるものと推察されますが、アップデートされたスケジュールをいつ頃明らかにしたいという目標などございましたら、教えていただけますと幸いです。

中井 [A]：はい、ありがとうございます。FDA との協議の内容が、これを公表すべき内容であるということになりましたら、すぐにでも適時適切にご紹介、ご案内できるかと思えます。特に普通の状態の進捗ということになりましたら、次の第 1 クォーターの決算発表のときに、開発品のアップデートの中に入ってくるのかなとご理解いただければと思います。

河内 [Q]：ありがとうございます。こちら、最後の質問ですが、RGX-111 は、クリニカル・ホールドがまだ解除されていないと思うんですが、今後開発の方針などございましたら教えていただけますでしょうか。

中井 [A]：はい、ありがとうございます。RGX-111 はクリニカル・ホールドはまだ解けていないということにつきましては、ご指摘の通りでございます。これはクリニカル・ホールドのレター、どういうことを示してほしいというような内容が FDA から来ていますので、それに沿った形で今、リジェネクスバイオ社が対応しているところでございます。

いつまでに何ができるんですかというところについては、リジェネクスバイオ社も開示はしておりませんし、その辺はご容赦いただければと考えております。

河内 [Q]：今後も前向きに開発は進めていくという御社の方針ではある、という理解でよいでしょうか。

中井 [A]：はい。その理解で結構でございます。

河内 [M]：ありがとうございました。以上です。

井上 [M]：2 回目の挙手をしていただいている方もおられますが、お時間の都合上、次を最後の質問とさせていただきます。ありがとうございます。

医薬経済社、坂口さん、お願いします。

坂口 [Q]：医薬経済社の坂口と申します。1点だけ。Deramiocel についてですけども、6月3日の審決次第では、中計にも何か影響を及ぼすということはあるんでしょうか。

中井 [A]：はい、そうですね。審理期日が6月3日に設定されて、そこで何がわかるかというところについては、先ほども述べましたように、はっきりしたことがわかるかわからないかもまだ不明ですけれども、審理の実際の結果次第では、いろいろな考え方をとっていかなければならないかとは考えております。

坂口 [M]：わかりました。以上です。ありがとうございました。

井上 [M]：挙手をいただいている方もおられますけれども、追加のご質問につきましては、弊社の広報担当、IR 担当にご連絡いただきますよう、よろしくお願い申し上げます。

以上をもちまして、日本新薬株式会社 2025 年度決算説明会を終了いたします。本日はご参加いただきまして、誠にありがとうございました。

それでは、失礼いたします。