

INTRODUCTION

CONTENTS

03	経営理念	06	難病・希少疾患領域への挑戦
04	日本新薬とは	07	社長メッセージ
05	創薬への挑戦が築いた100年の歩み	11	グローバル成長戦略

経営理念



❖ 経営理念

人々の健康と
豊かな生活創りに貢献する

❖ 企業スローガン

新しい生きるを、創る。

患者さん一人ひとりの未来に、
確かな価値を届ける。

日本新薬は、「人々の健康と豊かな生活創りへの貢献」との経営理念のもと、治療選択肢が限られた難病・希少疾患という困難な領域に、真摯に向き合ってきました。

その原動力となっているのは、患者さんご家族が安心と希望をもって暮らせる未来を創りたい、その揺るぎない想いです。

いまだ満たされていない医療ニーズに応えるため、患者数がどれほど少ない疾患であっても歩みを止めることなく、誠実かつ果敢に挑戦を続け、一人ひとりの「新しい生きる」を世界に届けていきます。



日本新薬とは (2025年度もしくは2026年3月31日時点)

京都から歩みを重ね、難病・希少疾患に挑む製薬企業

売上収益

1,707億円

前年度比6.6% ↑

営業利益

354億円

前年度比0.1% ↑

ROIC

13.1%

前年度比3.9pt ↓

イギリス

中国

京都

アメリカ

研究開発費

367億円

前年度比6.9% ↑

難病・希少疾患*1への
研究開発投資比率

70.7%

前年度比7.0pt ↑

難病・希少疾患*1治療薬の
売上比率*2

74.2%

前年度比1.8pt ↑

新製品売上比率*3

83.0%

前年度比10.8pt ↑

開発パイプライン数*4

24件

前年度比2件 ↑

パイプラインに占める
難病・希少疾患比率

87.5%

前年度比1.1pt ↑

海外売上比率

45.1%

前年度比2.2pt ↓

海外販売国数

76カ国

前年度比1カ国 ↑

セグメント別売上収益比率

機能食品事業

13%

前年度比3.3% ↑

医薬品事業

87%

前年度比7.1% ↑

人財・DXに関する社外からの評価

健康経営優良法人
～ホワイト500～

健康経営銘柄



えろぼし



くるみん



DX認定

*1 血液領域含む *2 売上には工業所有権等収益を含む *3 薬価収載15年以内かつ後発品のない先発医薬品の医薬品売上(工業所有権等収益除き)に対する割合 *4 2025年度より集計基準を変更し、前年度実績を再集計

創薬への挑戦が築いた100年の歩み

日本新薬は1919年の創立以来、「日本人の服むくすりは日本人の手で創りたい」という創業の精神のもと、患者さんの希望に応える新薬の創出に取り組んできました。

近年は難病・希少疾患を重点領域に位置付け、患者さんに新たな治療選択肢を届けるため挑戦を続けています。

創業期

創業の志が育んだ挑戦の原点

1911年、医薬品の多くを海外からの輸入に頼らざるを得なかった時代に、創業者の市野瀬潜は回虫駆除剤サントニンの国産化に挑みました。15年におよぶ研究と品質改良の末に国内生産を実現し、その後の回虫感染率の低下に大きく貢献しました。この挑戦の精神は現在の創薬活動へと受け継がれています。



創業者
市野瀬 潜

2000年代

独自性ある創薬基盤の構築

1990年代から核酸医薬研究に着手し、2007年には独自のRNA合成技術を確立しました。従来の低分子医薬では治療が難しかった疾患へのアプローチを可能とする創薬技術を確立し、難病・希少疾患への挑戦を支える研究開発基盤を築きました。この技術は現在の核酸医薬品の創出にもつながっています。

2010年代

難病・希少疾患を重点領域に

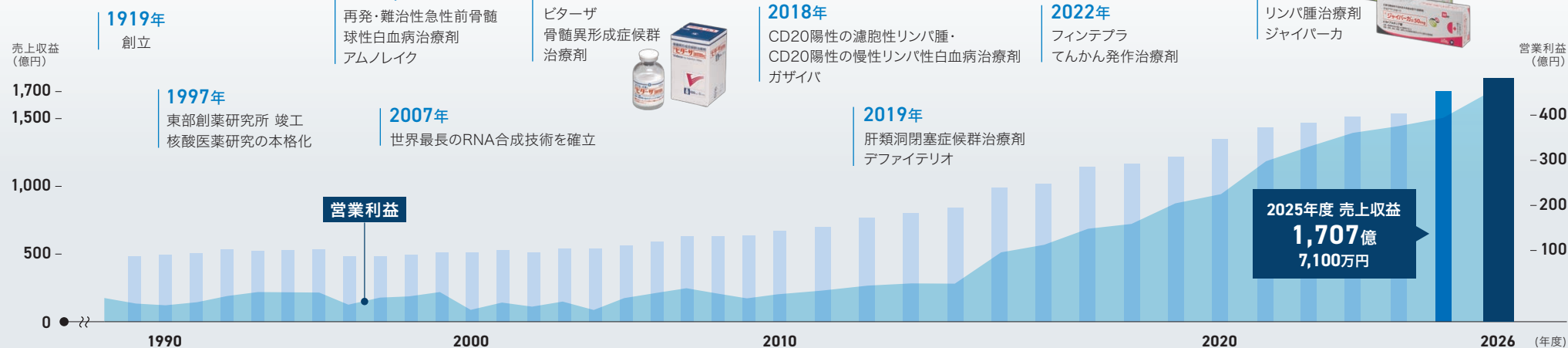
患者数が少なく有効な治療法が限られる難病・希少疾患を成長領域と位置付け、研究開発投資を強化しました。自社創製品である肺動脈性肺高血圧症治療剤「ウブトラビ」は76ヵ国で販売される製品へと成長。難病・希少疾患領域における高い専門性を構築し、当社の事業基盤強化にも大きく貢献しています。

2020年～

難病・希少疾患領域で世界へ挑む

2020年には、国産初の核酸医薬品「ビルテプソ」を米国で販売しました。米国での自社販売体制の整備に加え、2023年にはケンブリッジにIRPを開設し、グローバル展開を加速。現在、開発パイプラインの87.5%が難病・希少疾患領域となっており、世界中の患者さんへ新たな治療選択肢の提供を目指しています。

■売上収益・営業利益の推移



難病・希少疾患領域への挑戦

見過ごされがちな疾患に、 正面から向き合う

治療の選択肢が限られた領域で、
新たな可能性を切り拓いていきます。

患者数の少なさや研究の難しさにより、十分な治療選択肢が確立されていない疾患領域があります。

日本新薬は、核酸医薬をはじめとする創薬基盤を強みに、これまで治療法が限られてきた難病・希少疾患に挑み続けてきました。

一つひとつの疾患への理解を深めながら、可能性を積み重ね、

患者さんやご家族、医療現場の切実なニーズに向き合いながら、

アンメットメディカルニーズの高い領域で、新たな治療選択肢を創出していきます。

パイプラインに占める
難病・希少疾患比率

87.5%

難病・希少疾患への
研究開発投資比率

70.7%

疾患領域

血液領域
免疫領域
神経・筋領域
肺高血圧領域



社長メッセージ

難病・希少疾患への注力は、 日本新薬の変わらない覚悟です。

日本新薬のこれまでの歩みと変わらない存在意義

日本新薬は1919年の創立以来、「患者さんにとって本当に必要な医薬品を、自らの手で届ける」ことに向き合ってきました。創業者・市野瀬潜が掲げた「日本人の服むくすりは日本人の手で創りたい」という志は、事業環境が大きく変化した現在も、当社の意思決定の根幹にあります。

現代医療は大きく進歩し、多くの疾患で治療の選択肢が広がってきました。一方で、有効な治療法が十分に確立されていない疾患はいまだ数多く存在します。とりわけ難病・希少疾患領域では、患者数は限られる一方で疾患数が多く、十分な治療薬が揃っていない現実があります。だからこそ私は、難病・希少疾患領域への挑戦こそが、当社の使命であると考えています。その考えは、研究開発の姿勢にも明確に現れており、現在、当社の開発パイプラインの約8割は難病・希少疾患領域に集中しています。これは偶然ではなく、患者さんにとっての必要性を起点に経営資源を配分し、専門性を磨き、スピードと成功確率を高めるという判断を長年にわたり積み重ねてきた結果です。この「注力」と「積み重ね」こそが、日本新薬ならではの強みと独自性を形づくってきました。

代表取締役社長

中井 亨

TORU NAKAI

社長メッセージ

独自性の確立につながった取り組みの一例が、核酸医薬の研究開発です。技術が確立される以前からその可能性に着目し、研究体制と人材への投資を重ねながら研究を続けてきました。核酸医薬の研究開発は、単なる技術の蓄積にとどまらず、日本新薬の企業姿勢そのものを形にしてきた歩みでもあります。日本新薬が目指すのは、病気で困っている患者さんご家族にとって必要となる、高品質で特長のある医薬品を提供する会社です。それは、事業活動を通じて治療の幅を広げ、社会課題の解決に貢献し続けることでもあります。この姿勢こそが、世界のヘルスケア分野において日本新薬が必要とされる理由です。

今後、国内市場構造の変化、技術革新の加速、グローバル競争の激化など、当社を取り巻く経営環境は一層変化していきます。難病・希少疾患領域は社会的意義の大きい分野である一方、開発から上市、普及に至るまで容易ではない面もあります。それでも当社は、この領域にこそ日本新薬ならではの強みを発揮できると考えています。こうした認識のもと、私たちは2035年のありたい姿を定め、その実現に向けた取り組みを進めています。

2035年のありたい姿と中期経営計画の進捗

難病・希少疾患領域への注力は、社会的使命であると同時に、資本効率の向上にも資する合理的な経営戦略の中核の一つです。当社は2035年のありたい姿として、「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」を掲げています。これを実現し、持続的な成長を遂げるための具体的なシナリオとして策定したのが、2024～2028年度を対象とした第七次5か年中期経営計画「For Global Growth Beyond the Cliff」です。

本中期経営計画では、ウブトラビの patents クリフを重要な転換点ととらえ、「ウブトラビに替わる成長ドライバーの育成」「グローバル展開の拡大」「継続的なパイプラインの拡充」を3つの重点テーマとしています。これら3つの重点テーマを確実に前進させるために、経営戦略に基づく優先順位付けによる資源配分・コスト管理を徹底し、事業ごとの資本効率をROICで管理して、資本コストを上回る収益の確保につなげていきます。この方針のもと、2025年度は連結売上収益1,707億円、営業利益354億円と増収増益で過去最高を更新し、ROICは13.1%となりました。

医薬品事業においては、将来の成長を支える新たな柱づくりを着実に進めています。国内では、肺高血圧症治療剤「ウブトラビ」小児用製剤の販売など、肺高血圧症領域での価値拡大を進めました。血液内科領域では、抗悪性腫瘍剤である「ジャイパーカ」の適応追加、「ガザイバ」の併用拡大、芽球形形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤「エルゾンリス」の発売などにつなげました。泌尿器領域では、前立腺癌治療剤「アーリーダ」の販売権取得により領域ポートフォリオを厚くしています。

これらに加え、小児領域のデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤「ビルテブソ」やてんかん発作治療剤「フィンテプラ」を含む新製品群について、MRチャンネルとデジタルチャンネルを活用したオムニチャンネルでの販売活動を拡充し、新製品の早期市場浸透を推進しています。海外では、ムコ多糖症治療剤「RGX-121/RGX-111」の導入や「Tadekinig alfa」のオプション契約締結など、次世代パイプラインの拡充を着実に進めています。

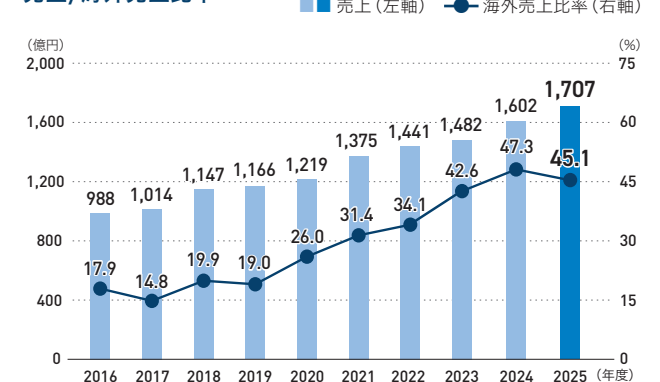
一方で、国内の薬価制度やMFN（最恵国待遇）を含む米国の価格政策など、医薬品を取り巻く事業環境の不確実性は高まっています。また、研究・開発を進める過程では、制度変更や開発の遅延など計画どおりに進まない局面が生じることもあります。だからこそ、研究テーマの選択、資源配分、事業化のスピードに一層こだわって、2026年度も将来の成長ドライバーの育成を着実に進めていきます。重要なのは、単年度の業績に左右されることなく、複数の成長ドライバーが継続して立ち上がる構造をつくることです。その実現に向けて、重点領域への集中を徹底しつつ、成功確率とスピードにこだわった試験計画の設定、導入・提携の目利き、そして販売・償還・患者支援・供給を一体で整える“届け切る力”の強化に取り組む必要があります。

併せて、研究開発の意思決定と実行を加速させるため、プロジェクトの優先順位付けや進捗管理をより強化し、必要に応じて経営としての関与も深めていきます。さらに、デジタルやAIの活用を進め、研究テーマの探索や開発プロセスの効率化、全社の生産性向上を通じて、試行錯誤のスピードと質を高めていきます。

利益水準としては、2026年度以降も段階的に利益が増加していく見込みです。そして、中期経営計画の最終年度である2028年度には、売上収益2,300億円、営業利益300億円、ROIC9%以上という目標の達成を通じて、パテント

クリフを越えた成長軌道を確かなものにし、2035年のありたい姿の実現に向けた土台を固めます。足元の変動があっても、難病・希少疾患領域への注力という軸は中核として堅持していきます。成果を積み上げ、社会価値の創出を通じて企業価値を高めることで、ステークホルダーの皆さまの信頼に応える成長を実現します。

売上/海外売上比率



社長メッセージ

研究開発方針

研究開発は、日本新薬の価値創造の源泉です。私たちは難病・希少疾患領域を中心に注力して研究開発を進め、特長ある新薬を早期に創出することにこだわってきました。この領域は、臨床試験の設計や症例集積などの難しさがありますが、治療の選択肢を広げる意味は極めて大きく、患者さんやご家族の切実なニーズもあります。また、制度面の特性や評価手法を踏まえれば、成功確率とスピードを高める余地があります。

当社の強みは、疾患理解、医療関係者とのネットワーク、製品を通じた実績に支えられた専門性です。例えばDMD領域では、核酸医薬の研究蓄積を基盤にビルテプソの開発・事業化を進めてきました。こうした経験で得た知見は、次のテーマの見極めや、上市後の価値最大化まで見据えた開発設計に生かされています。

研究開発の進め方において、私たちは規模も意識しつつ、「専門性×スピード×成功確率」を重視しています。研究テーマの優先順位付けと資源配分の最適化を図り、2025年度は367億円の研究開発費を重点領域へ集中的に投じ、成功確率にこだわった試験計画を立案・推進しています。加えて、低分子・核酸・遺伝子治療という複数のモダリティを駆使し、自社創製を推進している点においても特徴があります。難病・希少疾患には遺伝性疾患が多く、核酸医薬や遺伝子治療との親和性が高いという特性を踏まえ、疾患特性や作用機序、各モダリティの強みを掛け合わせた独自性の高いテーマを立案して差別化を図っています。これが日本新薬の目指す創薬であり、難題を乗り越えるために、成功確率にこだわり考え抜く姿勢そのものです。

パイプラインの拡充においては、自社創薬に加え、導入や提携を組み合わせて最適化していきます。導入は件数拡大が目的ではなく、グローバルで価値を最大化できるか、当社が開発から上市、その後の情報提供や患者支援まで担えるかを見極めた上で、将来の製品ポートフォリオを踏まえて推進します。現在、導入・提携は累計19社に広がっており、自社創薬・導入・プロダクト・ライフサイクル・マネジメント(PLCM)を三本柱として、継続的なパイプラインの拡充と実行力の強化を図ります。

研究開発のスピードアップは、引き続き重要な経営課題です。研究テーマの起案数が増えている一方で、すべてが開発段階へと円滑につながっているわけではありません。そのため、有望な研究テーマを早期に見極め、着実に開発段階へとつなげる取り組みを加速しています。データ活用やAIを取り入れ、探索段階から開発を見据えた検討を進めています。また、研究テーマの創出から開発ステージへの移行に至るプロセスを強化するにあたり、社内の研究開発実行力の高度化にも取り組んでいます。その上で、研究テーマの創出および初期探索においては、オープンイノベーションを重要な手段と位置付けています。2025年には、希少疾患に対する革新的治療薬の開発に向け、ボストン小児病院と戦略

的提携を締結し、研究テーマの募集・選定を通じた共同研究の枠組みを整えました。

さらにFRONTEO社との共創により、AI創薬支援サービスを活用した標的探索を進めるなど、外部の知見と技術を取り込みながら、難病・希少疾患領域におけるFirst in Classの新薬の創出の加速を目指しています。

社会や患者さんにとって真に役立つ創薬を実現するため

には、研究開発の各段階において、患者さんの視点に立って考え続ける姿勢が欠かせません。患者さんのニーズへの理解を深め、それを創薬や開発設計に着実に反映していくことで、患者さんを起点とした考え方を組織の中に根付かせていきたいと考えています。こうした声から得られる学びも生かし、日本新薬ならではの強みと独自性を備えた新薬を早期に創出していきます。

グローバル展開の拡大に向けた進捗

当社がグローバル展開を加速する目的は、難病・希少疾患領域で培った強みを世界で発揮し、国や地域の枠を超えて、より多くの患者さんに新たな治療の機会をもたらすことにあります。また、国内市場の構造変化も踏まえ、成長機会の拡大と事業基盤の強靱化を同時に実現する合理的な戦略として、海外売上高比率50%以上の達成を目指しています。第七次5か年中期経営計画においても、自社販売、アライアンス、M&Aなどあらゆる手段を柔軟に活用しながら、グローバル展開を着実に推進していく方針を明確に示しています。

2025年度の海外売上高比率は45.1%(海外売上収益770億円)となり、目標に向けて着実に前進しています。また、ウブトラビはパートナー企業であるジョンソン・エンド・ジョンソン社を通じて76カ国で販売されており、当社のグローバル展開は確実に広がっています。私は、この比率を単なる結果として追うのではなく、各地域で事業運営力を強化し続けることこそが、次の成長をつくると考えています。米国では、グループ会社であるNS Pharmaを中核に、販売・保険償還・患者支援・供給まで含めた



社長メッセージ

総合的な事業運営力の向上に取り組んでいます。知見と経験、施設ポテンシャルに応じた運用を強化し、組織として成果を最大化できる体制へ進化させてきました。DMD領域ではビルテプソの自社販売を継続しつつ、Capricor Therapeutics社から導入したヒト心筋由来の細胞医療製品であるCAP-1002についても、米国での今後の展開を見据えた準備を進めています。新しいモダリティを扱うほど、品質保証、安定供給、患者アクセスの設計が成否を左右します。米国では、複数品目を継続的に立ち上げられる「運営の型」の確立を最優先課題と位置付けて取り組んでいます。

組織体制の整備は2025年度にほぼ完了しており、今後は新製品の上市を通じて、その運営基盤を着実に固めていきます。そして、開発試験段階にあるNS-089やNS-050などDMD領域の自社創薬品の開発を前進させ、パートナー企業にて開発中のRGX-121／RGX-111やATSN-101を将来販売していくことで、米国における当社のプレゼンスを一層高めていきます。

中国では、北京艾努愛世医薬科技有限公司および天津艾努愛世医薬有限公司を拠点に、既存事業で蓄積した知見を土台として、将来の導入品・自社創製品を円滑に届けるための人財育成やマーケティングに加え、医療制度や流通を踏まえた患者アクセス体制の整備を進めています。市場環境や制度が異なる中でも、現地拠点を軸に、継続的に事業を拡大できる体制づくりを進めています。また、欧州においても、自社販売を含む展開の選択肢を踏まえつつ、将来の事業展開を見据えた準備を段階的に進めています。

2026年度は、米国での一層の体制強化と上市に向けた準備を進めるとともに、中国・欧州ではそれぞれの市場環境に即した事業基盤の整備と患者アクセスの具体化に取り組みます。地域ごとの優先順位を明確にしながらか着実に実行し、難病・希少疾患領域において当社が果たすべき役割をグローバルに広げていきます。

人的資本

日本新薬の最大の競争力は「人財」です。難病・希少疾患という難易度の高い領域に挑み続けられるのは、社員一人ひとりが患者さんに本気で向き合い、部門の垣根を越えて協働しながら成果を積み重ねてきたからです。第七次5ヵ年中期経営計画でも「社員一人ひとりが成長し多様な人財が活躍できる人的資本経営の推進」を経営基盤の強化の一つに位置付け、グローバル人財やDX推進を担う変革人財の確保・育成、組織風土改革、デジタル化による生産性向上を通じて、国内人員を増やすことなく成長を実現する方針を明確にしています。

私は年頭、社員に向けて「既成概念を打ち破り、ゼロベースで変革を進めよう」とメッセージを発信しました。環境変化が加速する中、従来の延長線上の発想だけでは成長は続きません。とりわけ私たち

が挑む難病・希少疾患領域では、前例がない課題に向き合う場面が多く、「正解を待つ」姿勢では前進できません。失敗を恐れず小さく試し、学び、改善を重ねる。その循環を組織として回せるかどうか、中長期的な企業の成長を左右すると考えています。

近年、AIを含むデジタル技術の進化は著しいものがあります。私は、AIは“作業の代替”ではなく、“創造と挑戦の幅を広げるパートナー”だととらえています。試行錯誤のスピードと質を高め、より本質的な価値創造に集中する。そのためにデジタル基盤への投資と人財育成を人的資本経営の重要なテーマとして進めていきます。同時に、どれだけ技術が進化しても、仕事の中心には「対話」があります。人の心を動かし、信頼を築き、挑戦を続ける力をくれるのは、人と人とのつながりです。

「自分に本気になる」「相手に本気になる」「社会に本気になる」というNS Mindを軸に、主体性と協働が両立する文化をさらに深め、少数精鋭の個性派集団としての強みを組織の力として定着させていきます。

終わりに

医薬品開発には不確実性が伴います。次世代の成長を担う開発品が計画どおりに進まない可能性も、規制環境や市場環境が変化する可能性も、常に存在します。現在、当社はCAP-1002をめぐる訴訟に直面しておりますが、患者さんに新たな治療の選択肢を一刻も早くお届けするという当社の使命に変わりはありません。その実現に向けて、関係各所と連携しながら、必要な準備を着実に進めてまいります。

私たちは、見通しの良い道だけを選ぶ会社ではありません。複数の成長ドライバーが継続して立ち上がる事業構造を築きながら、持続的な成長を実現していきます。難病・希少疾患領域を中心とした医薬品開発という挑戦に、経営として正面から向き合い続ける。その覚悟はこれからも変わりません。日本新薬は、短期の成果にとらわれず、社会にとって意義のある価値を長期にわたって積み重ねていく企業でありたいと考えています。

患者さんご家族、医療関係者、株主・投資家の皆さま、そして社員をはじめとするすべてのステークホルダーの信頼に応え、将来にわたって成長と責任を果たしてまいります。

今後とも、変わらぬご理解とご支援を賜りますよう、心よりお願い申し上げます。

グローバル成長戦略 — 2035年に向けた価値創出の加速

日本新薬は、第七次5か年中期経営計画において「グローバル展開の拡大」を重点テーマの一つに掲げています。2035年のありたい姿「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」の実現を目指し、グローバルでの成長を加速していきます。

成長戦略

当社グループは、難病・希少疾患領域を軸に、自社創製品と外部パートナーとの連携を組み合わせることで、グローバルでの事業展開を進めています。

自社創製においては、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤「ビルテプソ」を起点とし、エクソンスキッピング薬「NS-089」「NS-050」など、同領域におけるパイプラインの拡充を進めています。また、遺伝子治療や細胞医療などの新規モダリティの開発に向け、海外バイオテクノロジー企業との提携を通じて技術基盤を強化し、開発パイプラインの多様化を図っています。

これらの取り組みにより、製品ラインアップの拡充と、グローバルでの事業基盤の強化を進めています。

供給・販売体制の構築

グローバルでの患者アクセス向上を目指し、米国および中国において自社販売体制を構築しています。欧州での事業展開の可能性を検討するとともに、その他の地域については、パートナー企業との提携などを通じた事業展開も視野に入れ、当社の医薬品を世界中の患者さんへお届けすることを目指しています。

併せて、各国規制に対応した信頼性保証体制とサプライチェーンの高度化を推進し、遺伝子治療薬や細胞医療製品といった新たなモダリティに対応する流通体制の整備を進めています。

さらに、京都本社と海外グループ会社が連携し、研究から販売までの各機能をグローバルな視点で一体運営する体制を構築し、グローバル展開を加速します。

地域別売上収益構成/収益構成比率

海外

45.1%

770億9,900万円

前年度比

1.8% ↑

国内

54.9%

936億7,200万円

前年度比

10.9% ↑



Innovation Research Partneringが入居するビル

開発の推進と課題

当社は、研究開発力の強化に向け、外部との連携を軸としたオープンイノベーションに取り組んでいます。難病・希少疾患領域における新たな治療薬の創製を目指し、世界各国のアカデミアやバイオベンチャーとの連携を強化しています。その中核的な機能として、米国ケンブリッジを拠点とするInnovation Research Partneringを設置し、先進的な研究成果を早期に創薬シーズへとつなげていく体制を構築しています。例えば、ボストン小児病院との取り組みにおいては、同院の研究者から治療薬創製につながる可能性を有する研究テーマを募集し、その中から有望なテーマを選定の上、共同研究を推進しています。世界最高水準の研究力と当社の創薬ノウハウを融合することで、自社創薬の加速と研究開発ポートフォリオの充実を図り、将来のパイプラインの拡充につなげていきます。

一方、グローバルでの医薬品開発においては、外部パートナーとの連携を活用した開発体制を構築する中で、各国における開発・流通プロセスや提携関係、事業環境に起因するさまざまな課題が生じ得ることを認識しています。これらの課題については、関係当事者との対話や規制当局との協議を通じて、冷静かつ着実に対応を進めています。

DMDを対象とした細胞医療製品「CAP-1002」については、提携先および関係当事者との協議を継続しながら、開発の継続および今後の対応を進めていきます。また、遺伝子治療「RGX-121」「RGX-111」についても、パートナー企業の開発状況を踏まえ、対応を検討しています。

当社は、患者さんへの治療機会の確保を最優先のミッションとし、研究開発の推進と課題解決を図りながら、世界の患者さんに確実に価値を届けていきます。

グローバル成長戦略 — 2035年に向けた価値創出の加速

米国事業基盤の確立と成長の加速

ビルテプソは、ジストロフィン遺伝子のエクソン53スキッピングにより有効性を示すDMD治療剤であり、2020年に日米で販売を開始しました。以降、多くの患者さんへの投与実績を積み重ね、米国での売上収益を着実に拡大するなど、米国事業の成長を支えています。

本製品の展開を通じて、保険償還を含むマーケットアクセス、患者支援プログラム、安定供給を支える物流・販売体制、さらに医療関係者や患者団体とのネットワークなど、難病・希少疾患領域における継続的な事業展開の基盤を構築しています。

当社はこれらの基盤を活用し、後続製品の展開を加速させています。DMD領域では、複数のエクソンスキッピング薬の開発に加え、作用機序の異なる治療薬の開発・導入にも取り組み、治療手段が十分でない患者層への適用拡大と医療アクセスの向上を図っています。

日本新薬グループは、これらの取り組みを通じてDMD領域における持続的な価値提供を可能とし、難病・希少疾患に向き合う製薬企業としての役割を果たしていきます。

米国事業を支えるNS Pharmaの取り組み

米国市場は、革新的医薬品が評価されやすい一方、薬価政策などの事業環境の変化が収益性に及ぼす影響が大きく、機会とリスクの両面を踏まえた戦略が求められます。

当社グループは、子会社であるNS Pharmaを米国事業の中核として位置付け、マーケットアクセス、流通、患者支援を一体とした事業運営体制の構築を推進しています。米国特有の医療制度に対応し、公的保険および民間保険を含めた償還・価格戦略の検討、医療機関や保険会社との連携、患者支援プログラムの提供などを通じて、患者さんが適切に治療へアクセスできる仕組みの確立に取り組んでいます。また、製造・品質・流通・販売の各機能を連携させた準備を行うことで、上市初期から安定的に供給・販売できる体制を整備しています。

これらの取り組みにより、患者さんへの確実な価値提供と持続的な事業成長の両立を実現していきます。

患者アクセスの実現に向けて

米国においては、保険制度や医療提供体制が複雑であり、患者さんが適切に治療へアクセスできる環境整備が不可欠です。当社グループでは、NS Pharmaを中心に、患者さん一人ひとりに確実な価値提供を実現するための支援体制の構築に取り組んでいます。

具体的には、患者さんおよびご家族を支援するHUBサービス「NS Support」を通じて、保険償還手続きの支援や治療継続に必要なサポートを提供しています。これにより、医療機関との接点に加え、治療開始から継続に至るまでの一連のプロセスを支え、実際の治療アクセスの確保につなげています。

当社は、これらの取り組みを通じて、製品の価値を確実に患者さんへ届けるとともに、持続的な治療機会の確保を実現していきます。

VOICE



事業戦略部
岩井 啓能

海外事業の拡大に向けて

現在当社では、各国の医療制度や市場環境に応じた最適な方法を検討しながら、ビルテプソの海外展開を推進するなど、グローバルでの患者アクセス拡大に取り組んでいます。加えて、ウブトラビにおいては、すでに導出パートナーを通じて76カ国で展開しています。これらの取り組みを通じて、事業基盤、知見、ネットワークを着実に蓄積・拡大し、高品質で特長のある製品を早期にグローバル展開できる体制の構築を推進していきます。

中国市場については、北京と天津に現地法人を有しており、現地パートナー企業への販売委託を通じて自社製品の販売を行うとともに、新製品上市のための基盤整備を進めています。欧州市場に関しては、米国の最恵国待遇(MFN)をはじめとする外部環境の影響や製品パイプラインの状況を踏まえ、事業展開のタイミングを見極めていきます。これらの取り組みを通じ、難病・希少疾患領域におけるグローバルな価値提供を一層強化していきます。