

2026年度 第1四半期 決算説明会

2026年8月6日
日本新薬株式会社

1

- ・2026年度第1四半期の業績
- ・CAP-1002 (deramiocel) アップデート
- ・成長と収益性向上に向けた取り組み

代表取締役社長

中井 亨

2

- ・研究開発の進捗状況
- ・ビルデプソの動向

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

2026年度第1四半期の業績

代表取締役社長 **中井 亨**

2026年度第1四半期の業績等

売上収益：4期連続増収（医薬品・機能食品事業ともに伸長）

営業利益：増益

2026年度業績予想に変更なし

成長と収益性向上に向けた取り組み

パテントクリフへの対応を優先し、開発パイプラインを拡充

第七次中計期間内にも上市予定品目を追加

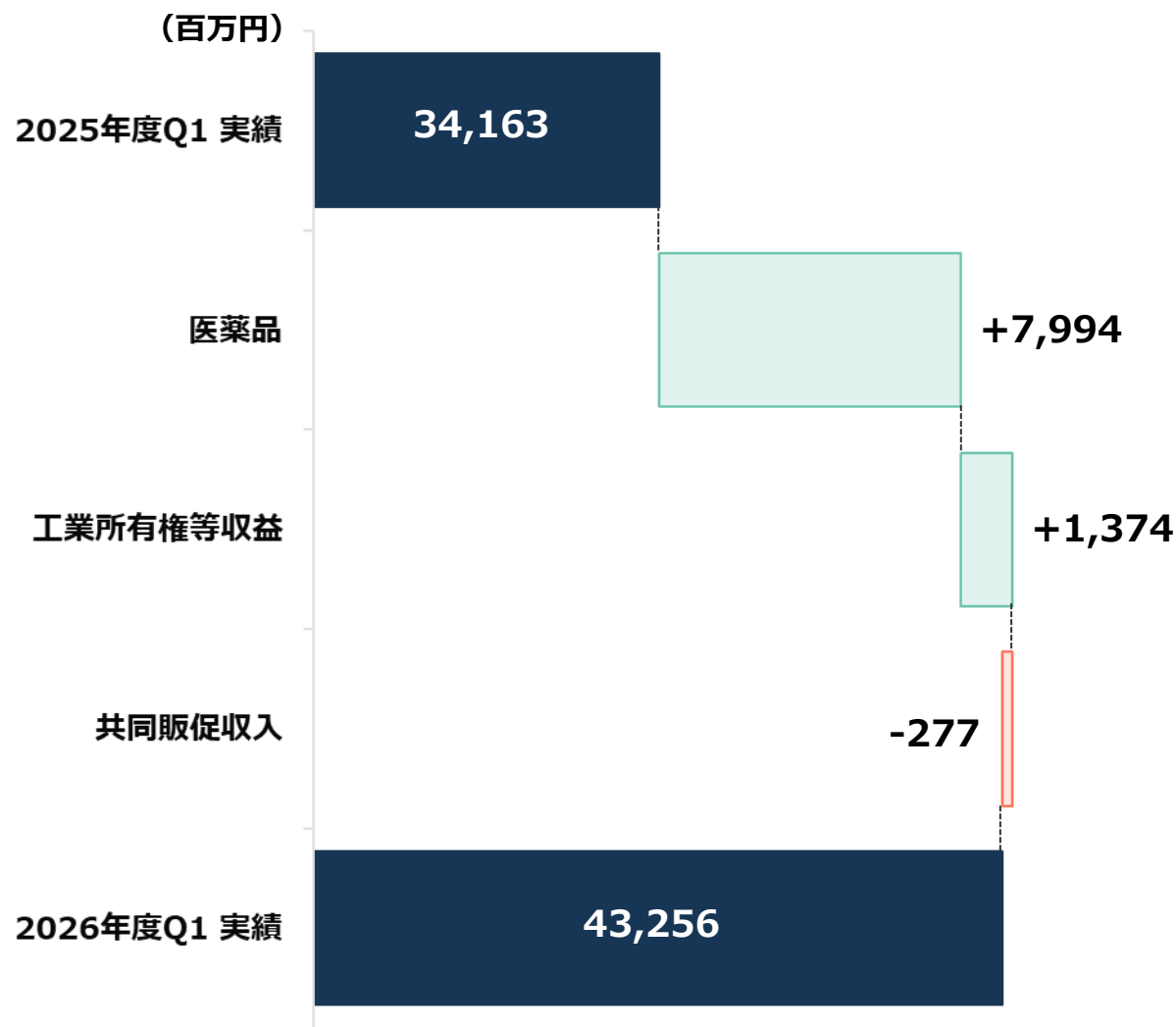
2026年度 Q1（4-6月）概要

- ・ 医薬品・機能食品事業ともに伸長し、4期連続の増収
- ・ 利益面では各種費用が増加したものの、為替差益等の影響もあり、増益

(百万円)	2025年度Q1		2026年度Q1		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	39,546	100.0%	49,066	100.0%	+9,520	+24.1%
（医薬品）	(34,163)	(86.4%)	(43,256)	(88.2%)	(+9,092)	(+26.6%)
（機能食品）	(5,382)	(13.6%)	(5,810)	(11.8%)	(+428)	(+8.0%)
売上原価	12,655	32.0%	17,726	36.1%	+5,070	+40.1%
販売費及び一般管理費	9,995	25.3%	11,075	22.6%	+1,080	+10.8%
研究開発費	6,189	15.7%	9,197	18.7%	+3,008	+48.6%
その他の収益	169	0.4%	1,364	2.8%	+1,194	+703.6%
（為替差益）	-	-	(727)	(1.5%)	(+727)	-
その他の費用	794	1.9%	119	0.3%	-674	-85.0%
（為替差損）	(645)	(1.6%)	-	-	(-645)	-
営業利益	10,081	25.5%	12,311	25.1%	+2,230	+22.1%
金融収益	468	1.2%	689	1.4%	+220	+47.1%
金融費用	46	0.1%	41	0.1%	-4	-10.1%
税引前四半期利益	10,504	26.6%	12,959	26.4%	+2,455	+23.4%
法人所得税費用等	2,248	5.7%	2,850	5.8%	+601	+26.8%
親会社の所有者に帰属する四半期利益	8,255	20.9%	10,109	20.6%	+1,853	+22.5%

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 28,129百万円**
(対前年同四半期比 +7,994百万円 +39.7%)

- ✓ ウプトラビ、フィンテプラ等の伸長
- ✓ リバース・コ・プロモーションにより当社製品売上に計上のアーリーダも寄与¹

● **工業所有権等収益 12,885百万円**
(対前年同四半期比 +1,374百万円 +11.9%)

- ✓ 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 2,240百万円**
(対前年同四半期比 -277百万円 -11.0%)

- ✓ 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

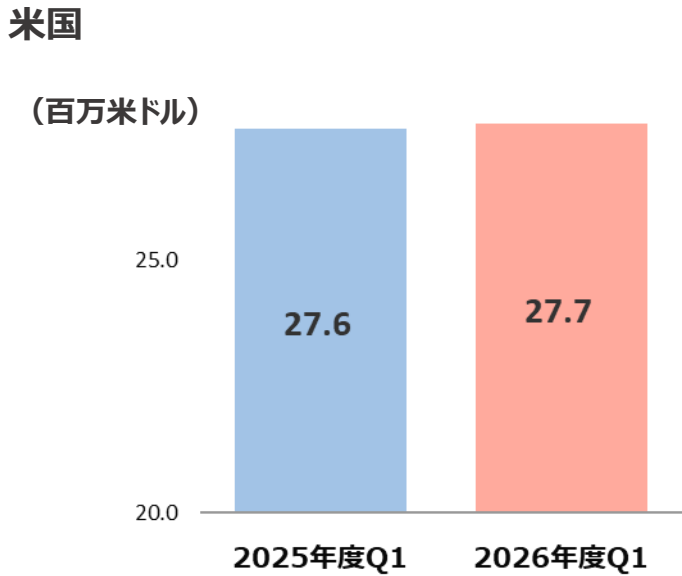
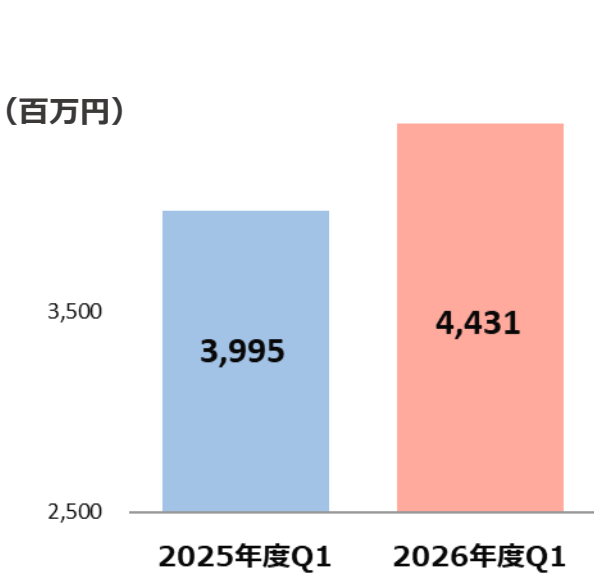
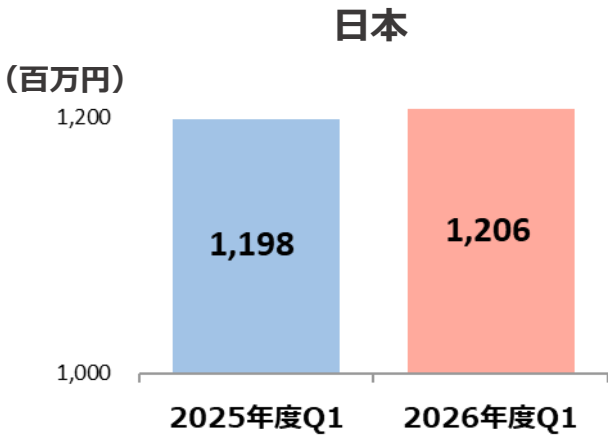
1. 従来共同販促収入として計上していたが、契約改定に基づき、2025年度Q3以降は当社の製品売上および原価に計上

ビルデプソの売上

・ 米国では、新規投与患者の増加に加え治療中の患者の体重増加に伴う投与量増加等により、売上増加を見込む

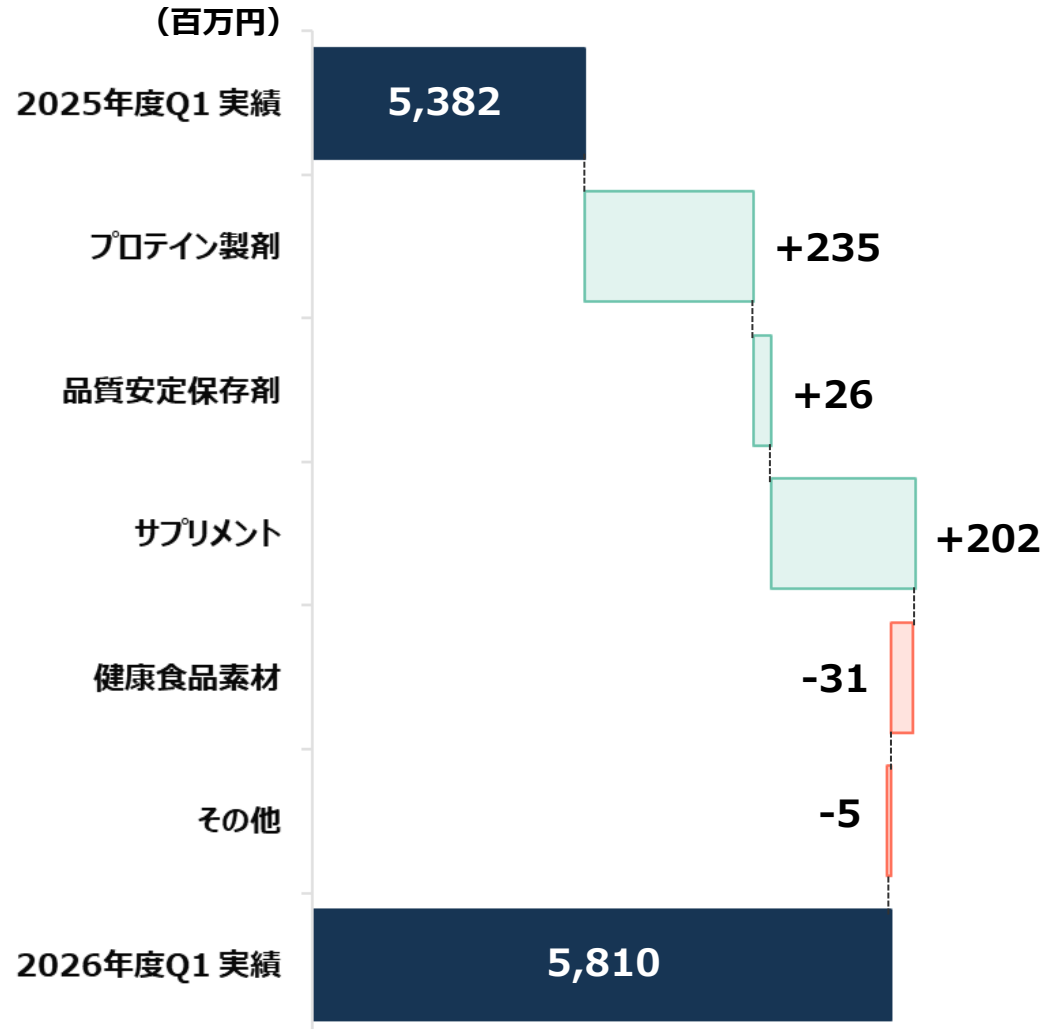
(百万円)	2025年度Q1 実績	2026年度Q1 実績	差異	増減率	2026年度 予想	コメント
日本	1,198	1,206	+7	+0.6%	4,800	✓ 現在投与中の患者数は中医協資料のピーク患者数128人の4分の3以上 ✓ 低年齢のエクソン53スキップ対象患者の早期発見・早期治療介入に取り組んでいる
米国 (百万米ドル)	3,995 (27.6)	4,431 (27.7)	+435 (+0.1)	+10.9% (+0.5%)	17,500 (116.6)	✓ 複数の高額DMD治療薬が上市され、保険適応の更新審査が厳格化 ✓ 2026年度は、新患獲得による投与患者数の増加および治療中の患者の体重増加に伴う投与量増加等により、前年度比で売上増加の見込み
計	5,194	5,637	+443	+8.5%	22,300	

為替レート	2025年度Q1 実績	2026年度Q1 実績	2026年度 想定
円 (対米ドル)	144.6	159.5	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
- ・主力カテゴリーの乳たん白やスポーツサプリメントが好調



●**プロテイン製剤** 3,554百万円
(対前年同四半期比 +235百万円 +7.1%)

✓ 粉末プロテインの販売が好調

●**品質安定保存剤** 823百万円
(対前年同四半期比 +26百万円 +3.3%)

✓ 大手ユーザーに対して用途拡大を推進したことで、日持向上剤やグリシンの販売量が増加

●**サプリメント** 815百万円
(対前年同四半期比 +202百万円 +33.1%)

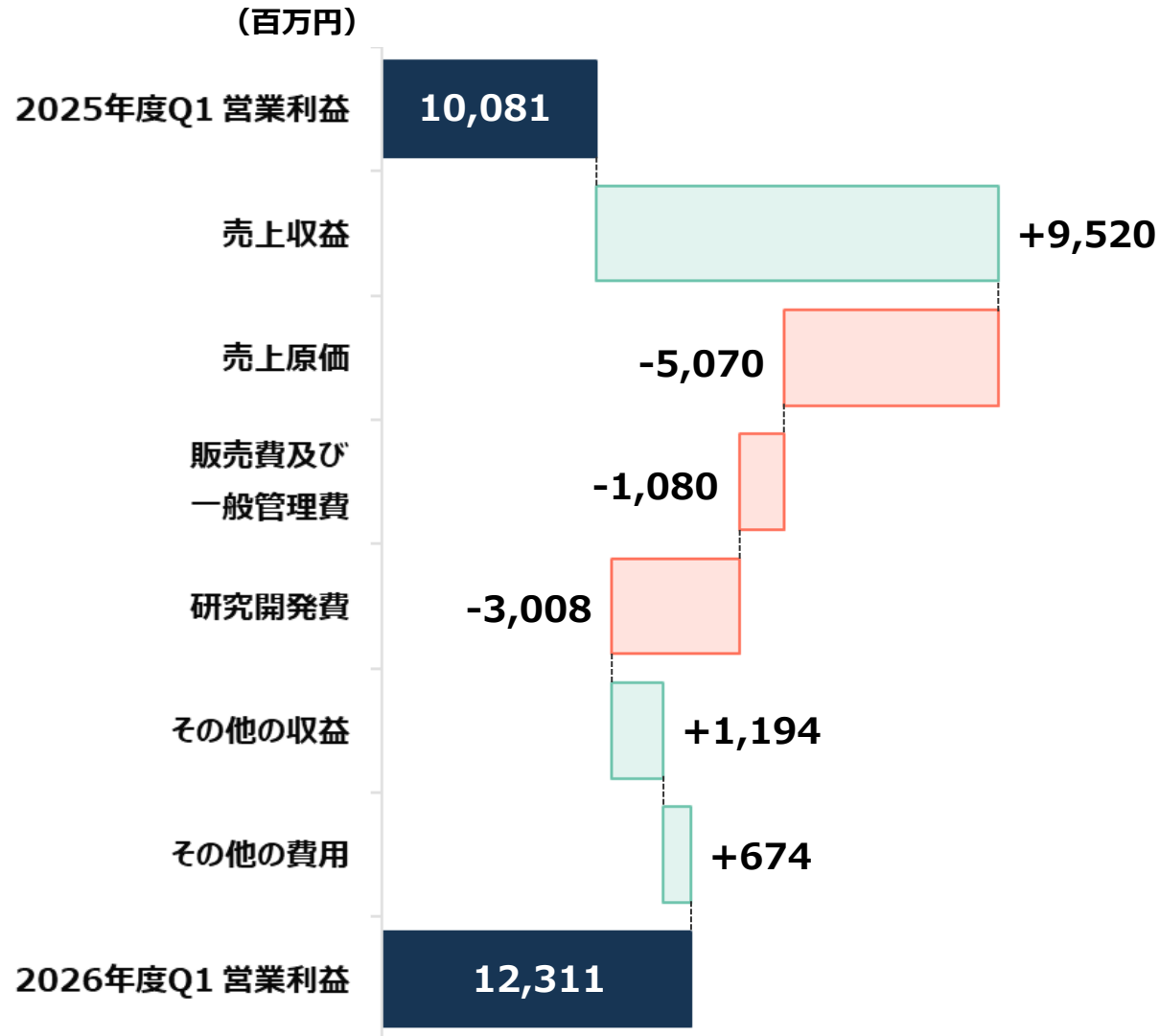
✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長
✓ プロテイン市場の成長に伴い、スポーツサプリメントの売上が伸長

●**健康食品素材** 278百万円
(対前年同四半期比 -31百万円 -10.1%)

✓ 大手取引先への販売が昨年に比べ減少

営業利益

- 売上収益と為替差益の増加により、増益



●売上収益 49,066百万円
(対前年同四半期比 +9,520百万円 +24.1%)

- ✓ ウプトラビ、フィンテプラ、ジャイパーカ等の伸長
- ✓ 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 17,726百万円
(対前年同四半期比 +5,070百万円 +40.1%)
原価率 36.1% : 4.1ポイント悪化

- ✓ 売上構成比、薬価改定等により原価率悪化

●販売費及び一般管理費 11,075百万円
(対前年同四半期比 +1,080百万円 +10.8%)

- ✓ 米国子会社NS Pharmaにおける販売費用の増加

●研究開発費 9,197百万円
(対前年同四半期比 +3,008百万円 +48.6%)

- ✓ 委託研究費等の増加
- ✓ EXG-7001のオプション契約一時金

●その他の収益 1,364百万円
(対前年同四半期比 +1,194百万円 +703.6%)

- ✓ 為替差益の増加等

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2025年度		2026年度			年度予想
	Q1実績	年度実績	Q1実績	対上期 計画進捗	上期予想	
売上収益	39,546	170,771	49,066	51.6%	95,000	200,000
（医薬品）	(34,163)	(148,484)	(43,256)	(51.8%)	(83,500)	(176,500)
（機能食品）	(5,382)	(22,287)	(5,810)	(50.5%)	(11,500)	(23,500)
売上原価	12,655	57,460	17,726		33,800	73,000
販売費及び一般管理費	9,995	43,565	11,075		23,500	47,500
研究開発費	6,189	36,713	9,197		19,500	40,500
その他の収益	169	3,025	1,364		300	1,000
その他の費用	794	560	119		1,000	2,000
営業利益	10,081	35,496	12,311	70.4%	17,500	38,000
金融収益	468	1,132	689		400	800
金融費用	46	166	41		100	200
税引前四半期利益	10,504	36,462	12,959	72.8%	17,800	38,600
法人所得税費用等	2,248	6,741	2,850		3,800	8,300
親会社の所有者に帰属する四半期利益	8,255	29,721	10,109	72.2%	14,000	30,300

為替レート（円、対米ドル）

2025年度Q1 実績	2026年度Q1 実績	2026年度 想定
144.6	159.5	150.0

2026年度における第2四半期以降の為替感応度は1円の円安で売上収益が約4.2億円増加、営業利益が約3.6億円増加を想定

CAP-1002 (deramiocel) アップデート

CAP-1002 (deramiocele) アップデート

- 2026年7月29日にCAP-1002 (deramiocele) に関する米国食品医薬局 (FDA) Cellular, Tissue, and Gene Therapies Advisory Committee¹が行われた
- 投票質問「利用可能なエビデンスに基づき、DMD患者の心筋症治療におけるderamioceleの有効性は十分に示されていると判断できるか」に対し、12名の諮問委員による最終投票結果は Yes 3票、No 9票、棄権 0票であり、委員会としてはDMD心筋症治療剤として有効性は十分に示されていないとの判断が多数を占めた

CTGTAC Voting Question



Does the available evidence provide substantial evidence of effectiveness of deramiocele for the treatment of cardiomyopathy in patients with DMD?

Please vote “Yes” or “No” or “Abstain”

1. FDA の医薬品審査に際して開催される一般公開の諮問委員会。製薬企業とFDA が審査対象品目のリスク・ベネフィットについてそれぞれプレゼンテーションを行い、各分野の専門家からなる諮問委員がパブリックオピニオンも参考に審議し、採決を取る

成長と収益性向上に向けた取り組み

成長と収益性向上に向けた取り組み

医薬品 事業戦略

自社創薬・導入・PLCMの3本柱により年平均2品目以上新製品を上市し、
パテントクリフへの対応を優先

研究開発資源の 最適配分

パイプラインの優先順位
を明確化

戦略的 アライアンス

導出・導入、販売提携
などを推進

収益構造改革

売上・費用構造の見直し

企業価値の向上に向けた取り組みを進め、持続的な成長の実現を目指す

新製品の上市目標

1.一般名→販売名に更新 2.適応追加
3.品目の新規追加 4.上市の繰り下げ

年平均2品目以上の新製品の発売、導入品として毎年1品目以上の獲得を目指す

第七次中計期間						次期中計期間		
	2024年度 (実績)	2025年度 (実績)	2026年度	2027年度	2028年度	2029年度	2030年度	2031年度～
国内	NS-87 (ビキセオス) : 高リスクAML	NS-401 (エルゾンリス) : BPDCN ¹	GA101 (ガザイバ) : 特発性ネフローゼ症候群	ZX008 (フィンテプラ) : CDKL5遺伝子欠損症	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) : DMD	NS-035 : FCMD	NS-050/NCNP-03 : DMD	NS-863 : PAH、PH-ILD ³
	LY3527727 (ジャイパーカ) : r/r MCL	LY3527727 (ジャイパーカ) : r/r CLL		GA101 (ガザイバ) : ループス腎炎	GA101 (ガザイバ) : 腎症を伴わないSLE		NS-304 (セキシパグ) : ASO	NS-229 : EGPA ³
	NS-304 (ウプトラビ) : 小児PAH	オプスミット : 小児PAH ²						
海外			CAP-1002 (deramioce) (米) : DMD心筋症	RGX-121 (米) : ムコ多糖症Ⅱ型 ³	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) (米) : DMD ⁴	NS-050/NCNP-03 (米) : DMD		NS-863(米) : PAH、PH-ILD ³
				Tadekinig alfa (米) : NLRC4異常症、 XIAP欠損症 ³		ATSN-101 (米) : LCA1		NS-229 (米) : EGPA ³

注：NS-051/NCNP-04（日本、米国）およびNS-065/NCNP-01（欧州、中国）は、いずれも当局との協議継続中であり、上市時期未定（開発継続）。
ムコ多糖症治療剤 RGX-111およびRGX-121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）、RGX-121は2026年2月にFDAより審査完了通知報告（Complete Response Letter）を受けたが、RGX-121はクリニカル・ホールドが解除され、FDAとBLA再提出の進め方を合意済

2026年3月2日開示
「2025年度 IRミーティング」p.5より更新

AML: 急性骨髄性白血病、r/r MCL: 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、PAH: 肺動脈性肺高血圧症、BPDCN: 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍、r/r CLL: 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、DMD: デュシェンヌ型筋ジストロフィー、SLE: 全身性エリテマトーデス、FCMD: 福山型先天性筋ジストロフィー、LCA1: GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障、ASO: 閉塞性動脈硬化症、PH-ILD: 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症、EGPA: 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症

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5月15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（対象国・地域）
発売	NS-304（セレキシパグ）	ウプトラビ	ウプトラビ錠0.8mg	2026年5月
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)	ビルデプソ	グローバル第三相継続試験の治験総括報告書（CSR）を米国食品医薬品局（FDA）に提出	2026年7月（米国）
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と生物製剤承認申請（BLA）再提出の進め方について合意 ¹	2026年6月（米国）
			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）
申請中	CAP-1002（deramiocel）	－	FDAによる諮問委員会（Advisory Committee）が開催された	2026年7月（米国）
			FDAによる審査終了目標日（PDUFA date）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（セレキシパグ）	－	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
	NS-025	－	泌尿器疾患	2026年7月
			シェーグレン病に伴う口腔乾燥症	2026年7月
PⅠ試験開始	NS-245	－	炎症性疾患	2025年12月

1. 2026年2月に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）を受領したが、その後
リジェネクスバイオ社が申し立てを行い、BLA再申請の進め方についてFDAと合意した

17

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5月15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（対象国・地域）
オプション権の行使 （AB2 BIO社）	Tadekinig alfa （タデキニグ アルファ）	—	NLRC4異常症/XIAP欠損症 米国における独占的な商業化に関する権利を取得	2026年7月（米国）
オプション契約締結 （エリクサジェン社）	EXG-7001	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD） 全世界における独占的な開発および商業化権利に関するオプション契約を締結	2026年6月
研究提携 （ボストン小児病院）	—	—	神経領域の革新的な治療薬の開発を目的として、共同研究契約を締結	2026年6月（米国）
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
希少疾病用医薬品指定	NS-035	—	福山型先天性筋ジストロフィー（FCMD）	2026年6月
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

ビルテプソの動向

<臨床試験>

- ・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。

- ・グローバル第Ⅲ相継続試験（302試験） **301試験を完了した患者さんを対象**

結果：

- ・有効性の評価項目の一つである床からの立ち上がり時間（TTSTAND）のベースラインからの変化量は、自然歴群と比較して25週目以降で統計的に有意な改善を示した。

<FDAとの協議>

FDAに提出していた追加第Ⅲ相試験（303試験）のプロトコルについて、2026年6月下旬にFDAよりType-Cミーティングの開催を推奨する連絡を受けた。今後はType-CミーティングにてFDAと協議を行う予定。

参考資料

医薬品売上収益の内訳

- ・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

業績予想における2026年度の為替レートは1USD=150円を想定。
2026年度第2四半期以降の為替感応度は、1円の円安で売上
収益が約4.2億円増加を想定

製品名 / 開発記号		適応症	2025年度Q1 実績	2026年度Q1 実績	差異	増減率	2026年度 予想 Q2累計 通期	(百万円)
ビルデプソ			5,194	5,637	+443	+8.5%	11,100	22,300
(内. 日本)		デュシェンヌ型筋ジストロフィー	(1,198)	(1,206)	(+7)	(+0.6%)	(2,400)	(4,800)
(内. 米国)			(3,995)	(4,431)	(+435)	(+10.9%)	(8,700)	(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	4,375	4,750	+375	+8.6%	9,200	19,200
アーリーダ		前立腺癌	-	3,610	+3,610	-	7,200	14,400
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	887	1,480	+593	+66.9%	3,000	6,100
ビキセオス		高リスク急性骨髄性白血病	1,447	1,368	-78	-5.4%	3,100	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	1,180	1,360	+179	+15.2%	2,500	5,100
デファイテリオ		肝類洞閉塞症候群	650	583	-67	-10.4%	1,300	2,600
シアリス		勃起不全（ED）	557	567	+9	+1.8%	1,000	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			2,517	2,240	-277	-11.0%	4,500	8,600
工業所有権等収益			11,511	12,885	+1,374	+11.9%	27,300	53,000
医薬品合計			34,163	43,256	+9,092	+26.6%	83,500	176,500
(薬価ベース)								
ジャイパーカ		マンツル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	464	1,105	+641	+138.1%	ジャイパーカの2026年度（予想） については非開示	

機能食品売上収益予想の内訳

・ 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

(百万円)	2025年度	2026年度	差異	増減率	2026年度予想	
	Q1実績	Q1実績			Q2累計	通期
プロテイン製剤	3,319	3,554	+235	+7.1%	7,100	14,200
品質安定保存剤	797	823	+26	+3.3%	1,650	3,400
サプリメント	612	815	+202	+33.1%	1,600	3,400
健康食品素材	309	278	-31	-10.1%	600	1,250
その他	343	337	-5	-1.5%	550	1,250
機能食品合計	5,382	5,810	+428	+8.0%	11,500	23,500

財政状況

(百万円)	2025年度 期末実績	2026年度 Q1実績	差異		2025年度 期末実績	2026年度 Q1実績	差異
資産	346,359	345,153	-1,205	負債	54,488	49,423	-5,065
(流動資産)	183,086	183,175	+88	(流動負債)	42,105	39,343	-2,762
(非流動資産)	163,272	161,978	-1,294	(非流動負債)	12,382	10,079	-2,302
				資本	291,871	295,730	+3,859
合 計	346,359	345,153	-1,205	合 計	346,359	345,153	-1,205

= 資産の部 =

現金及び現金同等物	-3,892
営業債権及びその他の債権	+4,409
無形資産	+1,727
その他の金融資産（非流動）	-3,212

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	-1,175
繰延税金負債	-1,356
その他の資本の構成要素	-2,088
利益剰余金	+5,930

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	jRCT2080224893
				—	米国	NCT04060199
申請中	CAP-1002 (deramiocele)	提携 カブ・リコ・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	NCT03406780 ¹ NCT05126758 ²
	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジ・エ・シ・ス・バ・イ・イ・社	△コ多糖症Ⅱ型	臨床試験の実施保留解除 ³ CRL受領 ⁴	米国	NCT03566043
	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	NCT05627557
申請準備中	Tadekinig alfa (タデキニグ アルファ)	導入 イー・ビー・ツ・バー・イ・イ・社	NLRC4異常症/XIAP欠損症	—	米国	NCT03113760
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	導入 ⁵ イー・シー・ビー・社	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041230015
	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	jRCT2011210059
			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	jRCT2071230031
	CAP-1002 (deramiocele)	提携 カブ・リコ・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	NCT05126758
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス 日本イーライリリー株式会社	マントル細胞リンパ腫	—	日本	jRCT2021210026
			慢性リンパ性白血病	—	日本	jRCT2011210061 jRCT2041210150 jRCT2021220024
	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	jRCT2071250134
PⅢ準備中	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	導入 ⁵ イー・シー・ビー・社	レット症候群	試験開始：2026年度	日本	jRCT2031260136

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い、BLA再申請の進め方についてFDAと合意した。

5. 日本における製造販売承認を2026年4月1日より承継

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	jRCT2031210685
			慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本	jRCT2031230134
	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041250028
					米国	NCT05996003
	NS-229	自社	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031230526
米国					NCT06046222	
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	jRCT2031250857
	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	NCT07441200
					日本	準備中
	NS-025	自社	泌尿器疾患	—	日本	準備中
			シェーグレン病に伴う口腔乾燥症	—	日本/米国	準備中
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：2028年度	日本	jRCT2041240060
					米国	NCT06053814
	ATSN-101	導入 アトセ・セラピーティクス社	GUCY2D遺伝子変異型 レーバー先天性黒内障	試験終了：2027年度	米国	NCT03920007
	RGX-111	提携 リジェックスバイオ社	ムコ多糖症 I 型	臨床試験の実施保留中 ¹	米国	NCT03580083
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	jRCT2031210452
	NS-245	自社	炎症性疾患	試験終了：2026年度	日本	jRCT2071250086

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

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	国内 発売 米国 発売 グローバルPⅢ継続試験
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53スキッピング
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
剤形	注射剤
特徴	欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化

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

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

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

－ 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	リジェネクスバイオ社が実施
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

参考情報：ムコ多糖症（MPS）の日本および米国の10万人当たり有病率は、MPS全体が1.53および1.2、MPS IIが0.84および0.29、MPS I が0.23および0.34
Epidemiology of Mucopolysaccharidoses Update - PMC

－ 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。

タデキニグアルファ (Tadekinig alfa)

－ NLRC4異常症/XIAP欠損症治療剤 －

開発段階	米国 申請準備中
オリジン	イービーツーバイオ社（スイス） 米国 2025/1 独占的商業化権に関するオプション契約締結 米国 2026/7 オプション権行使
開発形態	イービーツーバイオ社が実施
作用機序	遺伝子組み換えヒトインターロイキン18（IL-18）結合タンパク質製剤
適応症	NLRC4異常症/XIAP欠損症
剤形	注射剤（皮下投与）
特徴	過剰に産生されたIL-18に特異的に結合することで、IL-18に関連する免疫・炎症反応を抑制する。 本剤が承認されればNLRC4異常症/XIAP欠損症に対する初の特異的な治療薬となる。

参考情報：正確な疫学は不明であるが、文献等によるとNLRC4異常症/XIAP欠損症患者の推定有病率は、合わせて100万人あたり約3～5人ほどと推定される。

ZX008（フェンフルラミン塩酸塩）

－ 難治てんかん治療剤 －

開発段階	〈ドラベ症候群〉 発売 〈レノックス・ガストー症候群〉 発売 〈CDKL5欠損症〉 グローバルPⅢ試験 〈レット症候群〉 グローバルPⅢ試験準備中
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、レット症候群
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 －

開発段階	〈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 〈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 〈マントル細胞リンパ腫〉〈慢性リンパ性白血病〉 PⅢ試験
オリジン	日本イーライリリー株式会社 日本：2024/3 アライアンス契約
開発形態	日本イーライリリー株式会社が開発
作用機序	可逆的非共有結合型BTK阻害剤
適応症	マントル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病
剤形	経口剤
特徴	新規の結合機序を有しブルトン型チロシンキナーゼ（BTK）に高い選択性を示す

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	〈子宮内膜症〉 PⅡb試験 一時中断 〈慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群〉 PⅡa試験 一時中断
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	膜結合型プロスタグランジンE合成酵素-1 (mPGES-1) 阻害
適応症	子宮内膜症、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群
剤形	経口剤
特徴	ホルモン作用のない子宮内膜症治療剤で鎮痛効果と病巣の改善効果が期待される 安全性の高い慢性前立腺炎/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

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	グローバルPⅡ試験
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44スキッピング
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー
剤形	注射剤
特徴	欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化

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

－ 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤 －

開発段階	グローバルPⅡ試験
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	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 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

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	〈肺動脈性肺高血圧症〉 グローバルPⅡ試験準備中 〈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
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	PDGFR阻害
適応症	肺動脈性肺高血圧症（PAH） 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症（PH-ILD）
剤形	経口剤
特徴	PDGFRに対し高い選択性を有するキナーゼ阻害剤 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。

開発段階	PII試験準備中
オリジン	自社
開発形態	自社
作用機序	ムスカリンM3ポジティブアロステリックモジュレーター
適応症	泌尿器疾患
剤形	経口剤

開発段階	PII試験準備中
オリジン	自社 2026/7 : Aquelys Therapeutics, Inc.に対し、日本国内における一部適応症を除き、全世界における独占的な開発・製造・販売の権利を供与するライセンス契約を締結
開発形態	Aquelys Therapeutics, Inc.が開発
作用機序	ムスカリンM3ポジティブアロステリックモジュレーター
適応症	シェーグレン病に伴う口腔乾燥症
剤形	経口剤

－ 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	リジェネクスバイオ社が実施
作用機序	α -L-イズロニダーゼ遺伝子治療剤
適応症	ムコ多糖症 I 型
剤形	注射剤
特徴	AAV9ベクターに α -L-イズロニダーゼ（IDUA）遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDUA遺伝子を送達し、IDUAを産生させる 1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られることが期待される

参考情報：ムコ多糖症（MPS）の日本および米国の10 万人当たり有病率は、MPS全体が1.53および1.2、MPS IIが0.84および0.29、MPS I が0.23および0.34

Epidemiology of Mucopolysaccharidoses Update - PMC

－ 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

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。

