



日本新薬

日本新薬株式会社

2026 年度第 1 四半期決算説明会

2026 年 8 月 6 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] 第 1 四半期決算説明会

[決算期] 2027 年度 第 1 四半期

[日程] 2026 年 8 月 6 日

[登壇者] 5 名

代表取締役社長	中井 亨 (以下、中井)
常務取締役 経営企画担当	枝光 平憲 (以下、枝光)
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 2026 年度第 1 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。常務取締役 経営企画担当の枝光でございます。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。

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 2026 年度第 1 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 2026 年度第 1 四半期の業績に加え、deramiocel に関するアップデートなど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、ビルテプソの動向につきましては、研究開発担当の桑野から説明いたします。

ポイント

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

それでは、2026 年度第 1 四半期の業績について説明いたします。

はじめに、こちらのスライドでは、本日の正午に開示しました本資料のポイントをお示ししております。

2026 年度第 1 四半期の業績は、医薬品・機能食品事業がともに伸長し、4 期連続で増収となりました。また、営業利益についても増益となりました。今年度の業績予想については、現時点で変更はございません。

また、本日の説明会では、ウプトラビの Patent クリフを乗り越えるための取り組みについても併せてご説明させていただきます。

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%

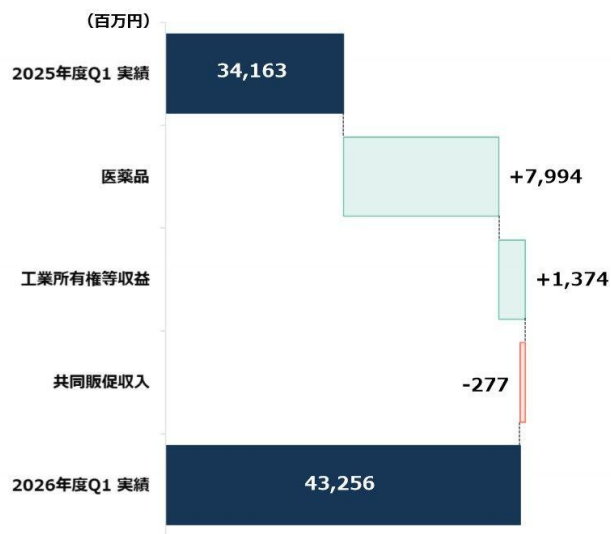
それでは、ここから詳しく説明いたします。スライド 5 ページをご覧ください。

当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、95 億 2,000 万円増加の 490 億 6,600 万円、営業利益は、22 億 3,000 万円増加の 123 億 1,100 万円、税引前四半期利益は、24 億 5,500 万円増加の 129 億 5,900 万円となりました。

親会社の所有者に帰属する四半期利益は、18 億 5,300 万円増加し、101 億 900 万円となりました。

医薬品売上収益の内訳

- ・ウブ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%)

- ✓ ウブトラビ、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%)

- ✓ ウブ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%)

- ✓ 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Q3以降は当社の製品売上および原価に計上

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、ウブトラビの国内売上、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、ジャイパーカなどの新製品群が伸長しました。

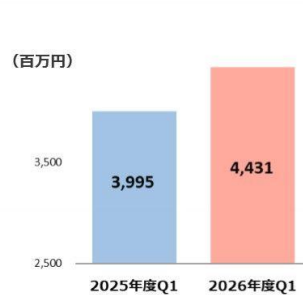
また、契約改定に基づき、昨年 10 月より当社の製品売上として計上しているアーリーダも寄与したことで、医薬品事業の連結売上収益は 432 億 5,600 万円と、対前年同期比 26.6%の増収となりました。

ビルテプソの売上

・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



NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 7

スライド 7 ページをご覧ください。

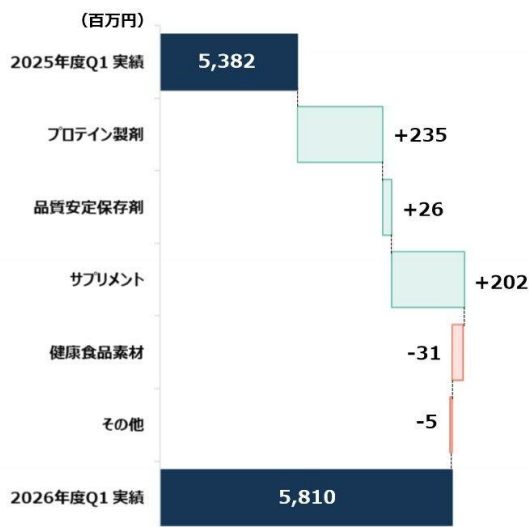
こちらでは、日米で販売を行っているビルテプソの売上をお示ししております。

当期の売上実績は、日本国内で 12 億 600 万円、米国で 44 億 3,100 万円と、日米において微増となりました。

複数の高額な DMD 治療薬が上市されたことなどにより、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、新規の症例を獲得し、投与を継続していただくことで、今後も売上の増加を見込んでいます。

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
- ・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

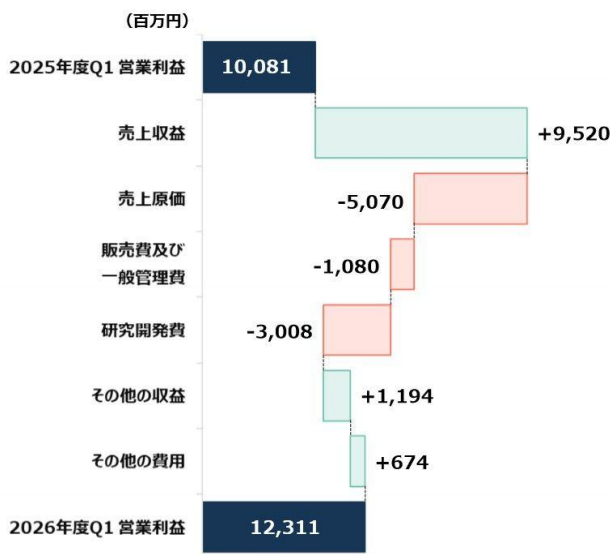
8

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、スポーツサプリメントなどが伸長し、機能食品事業の連結売上収益は 58 億 1,000 万円と、対前年同期比 8.0%の増収となりました。

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%)

✓ ウトラビ、フィンテブラ、ジャイバーカ等の伸長
✓ アーリータのリバース・コ・プロモーションにより、当社で売上計上
✓ ウ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

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、前年同期と比べて4.1ポイント悪化し、36.1%となりました。

販売費及び一般管理費は、米国子会社における販売費用の増加などにより、110億7,500万円と、対前年同期比10.8%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費の増加や契約一時金などにより、91億9,700万円と、対前年同期比48.6%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123億1,100万円と、対前年同期比22.1%の増益となりました。

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2025年度		2026年度			年度予想	為替レート（円、対米ドル）		
	Q1実績	年度実績	Q1実績	対上期 計画進捗	上期予想		2025年度Q1 実績	2026年度Q1 実績	2026年度 想定
売上収益	39,546	170,771	49,066	51.6%	95,000	200,000	144.6	159.5	150.0
（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			

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

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、2026年度の業績見通しについて説明いたします。

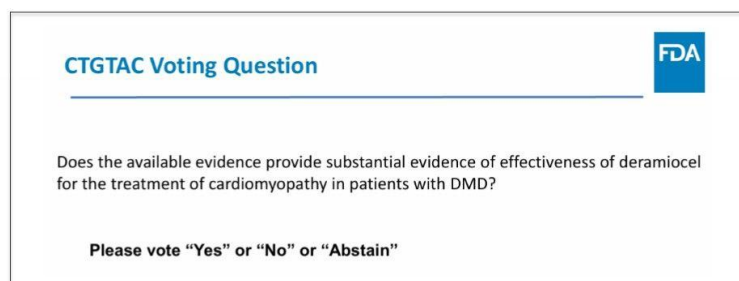
現時点では、5月に発表した今年度の業績予想から変更はなく、連結売上収益は2,000億円を見込んでいます。

営業費用について、売上原価は730億円、販売費及び一般管理費は475億円、研究開発費は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、前年度と比べ増益を見込んでおります。

CAP-1002 (deramiocel) アップデート

- 2026年7月29日にCAP-1002 (deramiocel) 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deramiocel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



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バランコピニオンも参考に審議し、採決を取る

出所：FDA CTGTAC July 29, 2026 Meeting Announcement

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 12

続きまして、ここからは deramiocel のアップデートについて説明します。スライド 12 ページをご覧ください。

7月29日にカプリコール社が申請中の deramiocel に関して、FDA 諮問委員会が行われました。その諮問委員会において、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 deramiocel の有効性は十分に示されていると判断できるかという投票質問に対し、12名の諮問委員による最終投票結果は、Yes が3票、No が9票、棄権が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ました。

Deramiocel を取り巻く状況には不確実性がありますが、当社の成長戦略はそれだけにとどまりません。いかなる事業環境においても、企業価値の向上に向けた取り組みを着実に進め、持続的な成長の実現を目指してまいります。

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

14

ここからは、当社の成長と収益性向上に向けた取り組みについて説明いたします。スライド 14 ページをご覧ください。

当社としましては、ウプトラビのパテントクリフへの対応を最優先し、パイプラインの開発優先順位の明確化による研究開発資源の最適配分、導出入や販売提携などの戦略的アライアンスの推進、売上・費用の収益構造改革などの戦略によって、成長と収益性向上に向けた取り組みを更に進めてまいります。

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 (ピキセオス) : 高リスクAML	NS-401 (エルソナリス) : BPDEN ¹	GA101 (ガザイバ) : 特発性ネフローゼ症候群	ZX008 (フィンデブラ) : CDKL5遺伝子欠損症	NS-089/NCNP-02 (プロギシルセン) : DMD	NS-035 : FCMD	NS-050/NCNP-03 : DMD	NS-863 : PAH, PH-ILD ³
	LY3527727 (ジャイバーカ) : r/r MCL	LY3527727 (ジャイバーカ) : 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 (セレキシバグ) : ASO	NS-229 : EGPA ³
	NS-304 (ウブトラビ) : 小児PAH	オプスミット : 小児PAH ²						
海外			CAP-1002 (deramiocel) (米) : DMD心筋症	RGX-121 (米) : ムコ多糖症Ⅱ型 ³	NS-089/NCNP-02 (プロギシルセン) (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、BPDEN: 芽球形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

15

スライド 15 ページをご覧ください。

こちらは、新製品の上市予定を年度別にお示ししております。

第7次中期経営計画期間中の2028年度までの上市予定品目に、新たにRGX-121、Tadekinig alphaを追加しました。

また、中長期的な成長ドライバーとして期待するNS-863やNS-229なども、一刻も早く市場にお届けできるよう開発を進めてまいります。

今後も自社創薬、導入、プロダクトライフサイクルマネジメント (PLCM) を通じて、年平均2品目以上の新製品の上市と1品目以上の導入品獲得を目指し、持続的な成長の実現に取り組んでまいります。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（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（セレキシバグ）	ウプトラビ	ウプトラビ錠0.8mg	2026年5月
発売	NS-401（タグラキソフスブ）	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（ビルテプソ）	ビルテプソ	グローバル第3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）	オブスミット	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
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
	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

桑野：研究開発担当の桑野敬市です。続きまして、ここからは研究開発の進捗状況について、2025年度の決算発表以降にアップデートした内容をご説明いたします。スライド17ページをご覧ください。

ウプトラビにつきましては、0.8mg錠を新たに発売いたしました。これにより、患者さんの服薬コンプライアンスの向上が期待されます。

ビルテプソにつきましては、グローバル第3相継続試験の治験総括報告書をFDAに提出いたしました。ビルテプソ動向につきましては、後ほど詳しくご説明いたします。

RGX-121につきましては、Type-A ミーティングを実施し、BLA再提出の進め方について、FDAとの合意を得ることができました。

deramiocelにつきましては、先ほど中井からご説明した通りですが、7月29日にFDA諮問委員会が開催されました。PDUFA dateにつきましては8月22日に設定されています。

泌尿器疾患に対して開発を進めてまいります NS-025 につきましては、米国のバイオテック企業であるアクエリス社に対して、一部適応症の日本の権利を除きまして、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いたしました。今後同社がシェーグレン病に伴う口腔乾燥症を対象とした臨床試験を進めてまいります。

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（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

18

スライド 18 ページをご覧ください。

2025 年 1 月に AB2 BIO 社とオプション契約を結んでおりました NLRC4 異常症および XIAP 欠損症を期待適応症として欧米で開発を進めております Tadekinig alfa につきまして、オプション権の行使により、米国における独占的な商業化に対する権利を取得いたしました。

続きまして、エリクサジェン社が DMD を期待適応症として開発を進めております EXG-7001 につきましては、当社が全世界における独占的な開発および商業化に関する権利を取得することができるオプション契約を締結いたしました。

また、6 月にはボストン小児病院と、てんかんなどの神経領域の革新的な治療薬の研究開発を目的といたしまして、共同研究契約を締結いたしました。

それから福山型先天性筋ジストロフィー治療剤の NS-035 につきましては、厚生労働省から希少疾病用医薬品指定を受けることができました。

ビルテプソ 本承認にむけて

<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。

続きまして、ここからはビルテプソの動向についてご説明いたしたいと思います。

承認条件として実施が求められております 301 試験につきましては、主要評価項目がプラセボ投与群と比較して、統計学的に有意な差が認められなかったということに関して、2024 年の 5 月に発表をいたしました。

この 301 試験を完了された患者さんを対象といたしまして、96 週間の継続投与試験であります 302 試験を行っていたんですが、こちらについては、運動機能を評価する項目の一つにおいて、自然歴群と比較して、統計学的に有意な改善を示すという結果が得られました。

本結果は、ビルテプソ投与を受けた患者さんでは、301 試験の期間と合わせて、3 年間にわたって運動機能が維持されており、臨床的に意義があるものと考えております。

また、FDA に照会しておりました追加の第 3 相試験である 303 試験につきましては、6 月下旬に FDA から Type-C ミーティングの開催を推奨する旨のご連絡を受けました。これを受けまして、今後、当社といたしましては、Type-C ミーティングで FDA と協議を行ってまいります。

以上、研究開発の進捗状況についてご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。

それではシティグループ証券、山口さん、お願いします。

山口 [Q]：こんにちは、シティの山口です。よろしくお願いいたします。一つ目の質問は、なかなか聞きにくい質問なんですけれど、やはり deramiocel の状況がいろいろと、製品そのものの承認可能性がちょっと AdCom で疑問符がついてましたし、あと御社とカプリコールの間ではまだ係争中だと思いますけれど、もし可能であれば、係争中である新しいビジネスモデルを巡る話にも進展があれば教えていただきたいのと。

そもそその承認がされない場合、その後、カプリコールはいろいろ継続していくと思うんですけど、御社としてはどこかで見切りをつけて、今期の業績予想に入ってますけど、それも含めて、それを全部仕切り直すみたいな可能性はあるのか、ないのか。ちょっと仮定の仮定みたいになっちゃいますけど、その辺について最初コメント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。まずカプリコール社との訴訟の状況につきましては、8月10日に審理期日が設定されておまして、その審理期日の日に何らかの裁判所の判断、または何かコメントがあるかというような状況でございます。その状況を見ていくというのが訴訟に関する状況の回答でございます。

今後の deramiocel の承認に関してですけれども、今回決算の内容としまして、2026年度の予想としても、現時点では deramiocel の売上を入れた形でご案内差し上げております。

ですので、現時点で FDA の最終判断が出ていない状況ですので、今後 deramiocel をどのように考えていくのかということについての回答は差し控えさせていただきたいと考えております。

山口 [Q]：ありがとうございます。あともう1個、ビルテプソの303試験、Type-Cのところまで来たということなんですけれど、スケジュール感としては、いつ頃 Type-C をやって、その後、どのぐらいのタイミングで次の展開が見えるかというタイムラインがあれば、教えていただけますでしょうか。

桑野 [A]：実は先ほど申しましたように、302 試験というものの結果が出てきまして、こちらの結果を加味して考えると、既にプロトコルの提出はしておるんですけども、少し見直したほうがいいんじゃないかというような議論も社内ですておまして、そのあたりの検討が進んだあたりで、実際に Type-C ミーティングを行おうと思っています。

ということですので、ちょっと時期については未定という状況です。

山口 [Q]：ごめんなさい、私の勘違いで。逆に言うと 302 試験のデータは最近出てきた形なんですか。

桑野 [A]：そうなります。

山口 [Q]：これは自然歴と比べたら効いているということなので。

桑野 [A]：その通りですので、実際に 303 試験を行うにあたって、非常に参考になるデータだと思っておまして、また 303 試験でわれわれがこれから行おうとしていることを支持するデータでもあると考えております。ということですので、このあたりもしっかり考えた上で、再度最適なプロトコルで試験をするなら望みたいと考えているところです。

山口 [M]：ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：みずほ証券、田中さん、お願いします。

田中 [Q]：みずほの田中です。今の質問の続きなんですけれども、今回の 302 試験で、立ち上がりのところで有意差が自然歴に比べてあったということなので、それだけ聞いていると、ほかの指標はちょっとあまり良くなかったのかなという感じもしますが、やっぱり NSAA でしたっけ、303 のプライマリー、で差をつけるのはなかなか短時間ではかなり難しいので、この立ち上がりのエンドポイントに変えようかなって思っているということでもいいのでしょうか。

桑野 [A]：ご指摘ありがとうございます。まさしくそのあたりのことも変更したほうがいいのかどうかということも含めて、再検討しているということです。

田中 [Q]：ありがとうございます。あと 2 点目が、新薬の上市スケジュールをアップデートしていただきました。その中で、RGX-121 と、Tadekinig alpha が 27 年度にあるんですけど、この RGX-121 のところは、BLA を 9 月末までに再提出すれば、2 カ月ぐらいですか、早く承認になる可能性もあったかと思うんですけど、これについては、27 年度になっているのは、これは保守的に見込んでいるということですかね。

中井 [A]：そうですね、BLA を再提出して、審査の期間が 2 カ月の場合と 6 カ月の場合があると聞いております。それで 6 カ月のときであれば、もう間違いなく 2027 年度の発売になると思いますし、もしベストケースであれば、9 月に再申請して 2 カ月の審査になると、今年度の後半、年末に向けて承認がされ、その後、発売ができることになりますので、本当に最速のときは、今年度中の発売もあり得るということではございますが、田中さんのご指摘の通り、保守的に見たというようなことでございます。

田中 [Q]：あと、その下にある Tadekinig alpha については、28 年の初め、上半期というか、28 年 1-3 月ぐらいに何とかしたいというようなことを聞いてますが、そういうイメージでいいんですよね。

中井 [A]：そうですね、27 年度のもう最後のほう、28 年 1-3 月に承認・発売に持っていききたいというようなことで考えているということでございます。

田中 [Q]：わかりました。最後にもう一つだけ、このファーストクォーターの決算が、売上の進捗が、特に医薬のロイヤリティとか、そういうのを除いた製品の売上の進捗が高いんですけど、これは開示されている製品以外で何かあったんでしょうかというところを枝光さん、お願いします。

枝光 [A]：特に開示されていない品目で何かあったかというご質問に関しては、特に何もないということですし、4-6 月の実績に関しましては、計画通り、プラスアルファで好調に進捗しているというような状況でございます。

田中 [Q]：例えば去年のファーストとかですと、もちろん四半期報告書が出てないからはっきりわからないんですけど、ビルテプソの未承認国向けの輸出があんまり出なかったんですけど、それが普通に戻ってきたというか、何かそういうこともあるのかなと考えたんですけど、それは変ですか。

枝光 [A]：そこに関してはその通りでございます。未承認薬の部分も、昨年に比べるとかなり増加しているというところです。

田中 [M]：わかりました。ありがとうございます。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。ありがとうございます。私はいくつか教えていただきたいんですけど、まず一つ目が、CAP-1002 関連で教えてください。

今回 AdCom の内容を拝見しますと、元々 FDA の文書でも、解析手法に関して、元々 FDA と合意していたものではないものといえますか、途中の段階でいろいろ SAP3.0 まで変化していったというところも指摘を受けているんですが、こういった内容というのは、御社はもうご認識していたこ

とだったんでしょうかというのと、あとこの承認されなかった場合、どういうシナリオが想定されるんでしょうか。先ほどの山口さんのご質問にちょっと重なるんですけれども、非常に重要だと思うので教えてください。

中井 [A]：どこまで情報を得ていたのかというようなご質問かと受け取りました。当社は、もちろん開発主体ではございませんので、臨床試験のデータ全てを保有していたわけではございません。販売準備に必要な情報に限って、われわれからカプリコール社に求めて、共有を受けていたというような状況でございます。

どの情報を持っていて、どの情報を持っていなかったのかということにつきましては、本当に現在この点については訴訟の関連もありますので、具体的なところの回答は差し控えさせていただきます。

もう1点、承認されなかった場合についての今年度の業績、またその先というような影響についてのご質問ということでございますが、仮に承認されず、deramiocecel の売上と費用を予想から外した場合、今年度の営業利益についてはそんなに大きな影響はないと考えております。また、仮にそういった状況、不承認となった場合につきましては業績予想については、また精査の上、11月の半期の決算説明会では説明したいと考えております。

また、中長期の影響ということにつきましても、そういった不承認になった場合については、先ほど私から紹介させていただいたスライドの中身でございますようなパイプラインの開発の優先順位の明確化で、研究開発資源を最適配分していくですとか、こういった三つの取り組みを通じまして、収益性向上に向けて取り組んでまいります。

ですので、その先の中長期の計画につきましては、その取り組みを反映させた成長戦略をまた改めてお示しさせていただきたいと考えております。

若尾 [Q]：フォローアップで、Complete Response Letter を向こうが受け取って、追加の試験を求められた場合、なので、今後のアディショナルなスタディを求められた場合に、御社はそれに参加するというか、承認されなかったら提携解消の方向に動くと考えたほうがいいのか、場合によっては追加試験についても御社も一緒に参加していくという可能性もあるのか。こちらはでしょうか。

中井 [A]：その点につきましても、現時点ではまだ回答できる状況にはございませんということでご容赦いただければと思います。

若尾 [Q]：わかりました。あと、CAP-1002 に関して、無形資産があると思うんですけど、仮に御社が提携を解消していくとなりますと、減損の可能性もあるのかなと思うんですけど、この点について教えていただけますか。

枝光 [A]：仮にの話ですけども、確かに無形固定資産を資産計上しておりますので、例えば開発中止になる、あるいは提携を解消するという事態になれば、減損の可能性はあるということでございます。

若尾 [Q]：無形資産の金額を教えてくださいませんか。

枝光 [A]：それは非開示となっております。

若尾 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：大和証券、橋口さん、お願いします。

橋口 [Q]：大和証券の橋口です。よろしくお願いします。もし deramiocel の収益が見込めないということになった場合に、14 ページでご紹介いただいたようなことに取り組んでいくお考えだというようなことをお話しされたと理解しました。

具体的な金額はともかくとして、方向性としては、研究開発費と販管費については抑制する方向で、元々2年ぐらい前にご発表された中計と比べると、抑制していく方向だと理解をしました。

一方で、当時は機動的アロケーションとおっしゃっていた成長投資については変わらないか、むしろ増やしていく方向というような理解でいいのでしょうか。

そして、営業キャッシュ・フローが、少なからず想定と比べて減る可能性がある中で、株主還元についてはどのようにお考えかというのをお聞かせいただけませんかでしょうか。

中井 [A]：成長投資のところににつきましては、短期的に利益に貢献してもらえるような後期の開発品の導入・アライアンス・販売提携に、より注力していくことになります。そこが成長投資としてはお金をかけていくというところで、スライドの真ん中の戦略的アライアンスのところで掲げさせていただいている内容でございます。

株主還元につきましては、基本的に単年度の業績だけでなく、中長期の収益力や財務基盤、成長投資とのバランスを踏まえて判断するというのが基本的な考え方なんですけれども、現時点でわれわれが皆様にお示ししている株主還元方針を変更する予定はございませんで、DOE を勘案しながら安定的に配当していきたいというような思いで、今のところ株主還元方針を考えております。

橋口 [Q]：ありがとうございます。まだ FDA の判断が出てないから変更ないというわけじゃなくて、仮に承認されなかった場合でも、直ちに還元方針を変更する考えは今のところないということですね。

中井 [A]：はい。しっかりと、これらのスライド 14 ページ目でお示ししている取り組みを通じて、株主還元方針は変更しない考えで進めていきたいと考えております。

橋口 [Q]：ありがとうございます。もう 1 点だけ、ビルテプソについて。FDA から Type-C ミーティングをリコmendされたときに、補足的に何らかの見解というのは受け取っているんでしょうか。また、もしそれがなかった場合に、御社としては、これをどのように解釈されてらっしゃるんでしょうか。

302 試験の報告書を提出する前に Type-C ミーティングが推奨されたということなので、302 試験のレビューを踏まえた上ではないようなんですけれど、こういった FDA の動きが出てきていることで、元々御社が意図されていた Accelerated Approval の状態を継続したまま、303 試験を実施していくというような大きな考え方について、FDA の理解を得られつつあると受け取っていいのか、そこはまだこれだけでは何とも言えないのか、いかがでしょうか。

桑野 [A]：補足的なことを何かはっきり言ったのかという点については、やはり当局でありますので、はっきりとはおっしゃりませんが、元々われわれは市場にこの製品を残した上で、新たにフェーズ 3 試験を行いたいということを提案していました。

それは時期尚早だということで、1 年以上われわれは待っていたわけですが、いよいよそういう話を具体的にすることができるようになったというような表現をされて、今回 Type-C ミーティングを提案してこられました。ということですので、総合的に見ると、おそらく当社の製品を市場に残すということは念頭に置きながら、これからの協議をしてもらえないかなと、われわれとしては考えています。以上です。

橋口 [M]：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、山木田様、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した。私から 1 点目、先ほどの成長と収益性向上に向けた取り組みのところの研究開発資源の最適配分と費用構造の見直しというところ、コストを見直していくというところだと思うんですけれども、この本気度というか、どれぐらい迅速にやられるかというのを伺いたいです。

もちろん deramioceol が承認されないとわかった後にどれぐらいすぐにやるかという話なんですけれども、PL を見ると、ちょっと来期からウプトラビの LOE もあって、なかなか厳しい期間が始まるのかなと思うんですけれども、BS 的には、御社は今まで積み上げてこられたキャッシュもあって debt もないので、ある程度、そんなに急いでコストカットしなくても、企業継続にとって問題ないといえば問題ないと思うんですね。

そんな中で、しっかりすぐに迅速にコストカットをしていただいて、利益を生み出していただけるのか。それともひとまずは導入であったりというところで、将来の成長に投資をしていくのか。このあたりの、どれぐらいすぐにコストカットに動くのかというところ、カラーがあれば教えていただけますでしょうか。

中井 [A] : 実際に 2027 年度からパテントクリフがやってきます。そこでいわば利益面がこのままだと大きく減っていくというような状況でございますので、2027 年度、28 年度と、利益の面でも黒字にきちんとした形になるように、コストコントロールをしていきたいと考えております。

ですので、今のご質問に対する回答としては、比較的早いうちからしっかりと利益を追求していきたいというスピード感を持って動いていくということでございます。

山木田 [Q] : わかりました。ありがとうございます。あともう 1 点、先ほど田中様の質問にもあったと思うんですけれども、製品売上のその他の部分です。これが去年と比べると、手元の計算で 30 億円弱ぐらい増えているように見えるんですね。うち、ジャイパーカが 6~7 億円を占めていて、ほかが多分未承認地域での製品売上というところだと思うんですけど、これは何か売上、[音声不明瞭]自体が加速した要因が具体的にあるのか、それとも単純に為替で少し上乘せされたのか。このあたりも少しヒントをいただけますでしょうか。

枝光 [A] : 為替の影響というよりも、先ほどお話ししましたように、未承認薬の売上が回復しているというところが非常に大きいというところでございます。以上です。

山木田 [M] : 未承認薬の売上の為替ではなくて、現地売上でも挙がっているということですね。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] : SMBC 日興証券、和田です。私は NS Pharma で、アメリカの販売体制の今の構築状況と、もしこの deramioceol が承認されなかった場合の NS Pharma の人員をどうされるかみたいなところをまず伺いたいのですが、いかがでしょうか。

中井 [A]：もう既に販売準備はほぼ整っている状況でございます。もし不承認になった場合につきましては、本日ご案内させていただいた Tadekinig alpha ですとか、RGX-121 のスケジュールも見えつつありますので、そういったアメリカ市場における品目と、そこに必要なリソースを見ながら、それに応じた販売体制になってくると思います。

ですので、それがもしこの 2 品目で過剰であれば削らなければならないと考えておりますし、先ほど私からご紹介させていただいた三つの取り組みのパイプラインの獲得、戦略的アライアンスですね。この導入の案件ですぐに売れるようなものをアメリカでの市場向けにというもので獲得したら、それも含めて NS Pharma の販売体制の最適な人数で臨むというようなことでございます。

ですので、減らすというような選択肢ももちろん持った上で、事業を進めていきたいということでございます。

和田 [Q]：ありがとうございます。今お示しいただいたスライドで、導入のところ、後期開発品を補充していきましょうという話はリーズナブルでよく理解できているんですけど、今回 NS-025 とか導出されたりしているんですけど、導出側のスタンスというのは変わったりするのでしょうか。

中井 [A]：改めて、われわれとして、きちんと研究開発資源はこれぐらい使えるというような金額、そういう経営資源をもとに、どれを優先してやっていくのか、自社でやるのはどの品目なのか、他社さんと組むべき品目はどれなのかというものを改めて明確化した上で、もし自社でやらないというような品目については、積極的に他社さんに出していくというようなことになると理解いただければと思います。

和田 [Q]：最後、R&D のところなんですけど、エリクサジェンとオプション契約締結している EXG-7001 は全長のメッセンジャーRNA 医薬品、ジストロフィンのものだと思うんですけど、このオプション権の行使のトリガーになるようなイベントをどこで見なければいいかというところと、これが承認されるまでの技術的な課題というんですかね、ハードルというのはどこで見たらいいかというのを伺えますでしょうか。

桑野 [A]：トリガーですね、それは今、基礎研究もちょっと続けてやっていただいているんですけども、そのあたりの結果も見ながら適宜判断したいと思っています。

あと技術的なところでどうかですけれども、もちろん全長のジストロフィンを全身性に、期待通りといいますか、理想的に発現するには難しいところはまだまだ技術的にあるのかなと思いますが、当面考えていることは、現状でも実際実験結果がよければ実現は可能だと思っています。ただ、更に発展的にこの研究を膨らませていけるように検討は進めていきたいと思っています。

和田 [M]：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。よろしくお願いいたします。僕からは 2 問よろしくお願いいたします。ビルテプソの追加の試験でしたり、FDA との話等々に関して、まず一つ目、お願いします。

競合さんは、多分 45 と 53 の治験でプライマリー未達だけでも申請ができて、もう[音声不明瞭]は決まっていると思うんですね。このあたりも背景にあると思うんですけども、今後、Type-C ミーティングで御社、301 と 302 とリアルワールドデータを合わせて、フェーズ 3 を行うではなくて、NDA、これで本承認を狙うとか、そういうストーリーもあり得るのかどうか。このあたり、競合さんができていて、御社があえて追加フェーズ 3 をやるというところもちょっと何だかというところもあるので、もし可能でしたらご説明いただけないでしょうか。まずこれが 1 問目です。

桑野 [A]：おっしゃることも、われわれも当然考えているところでして、実際今、本承認を受けるにあたって、どういうことが要件になるのかというあたりもはっきりわからない部分がございますので、この Type-C ミーティングの中でそのあたりもしっかり議論していければなと思っているところです。そういうことも含めて、ご指摘いただいたようなことが実現できるかどうかということも、われわれとして探っていきたいと思っています。

川村 [Q]：わかりました。ありがとうございます。Type-C ミーティングを経て、われわれに情報がアップデートされるタイミングって、次の決算ぐらいと思っていてよろしいですか。

桑野 [A]：これは先ほどもご説明しましたけど、まだ Type-C ミーティングの日程がはっきり決まっていないので、次回の決算というのはちょっと間に合わないのかなという気はしますが、われわれとして、できるだけ早く相談を進めて、この案件も収束に向けて進めたいと思っています。

川村 [Q]：これ、近々開催されますよね。前、なかなか開催されなかったとか、返事もらえなかったというケースがあったと思うんですけど。これはもう先方から推奨する連絡を受けているので、近々開催されると思っていてよろしいんですね。

桑野 [A]：ずるずる引き延ばすという考えは全くございませんので、先ほど申しましたように、プロトコルの検討を今進めておりますが、そのあたりのめどが立てば、実際相談に向けて行動を起こしたいと思っています。

川村 [Q]：わかりました。ありがとうございます。2 点目です。確認的な質問なんですけど、アップトラビの特許について、ジェネリック、[音声不明瞭]出る等の確認も含めてご質問させていただきます。

基本的に 27 年 4 月に LOE だと思うんですけども、何か血漿系の特許とかで、これがもうちょい延びるパターンとかって、われわれ少し期待ができるのかどうか。あとは、基本的に特許が切れても、先方に売りが立っていればロイヤリティが入る認識で間違いありませんよねという質問です。

中井 [A]：実際にジェネリックが入ってくるのは 2027 年 4 月以降ということで、特に血漿系の特許があるからといって、そこでジェネリックは入れないということにはならないとご理解いただければと思います。

あと Johnson & Johnson 社との契約内容でございますけれども、特にジェネリックが入ってきたら料率が変わるということではなく、引き続き定められた、決められた料率で、売上自体が下がっても、そのある一定パーセント分、ロイヤリティが入るというような契約内容でございます。

川村 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：モルガン・スタンレー MUFG 証券、李さん、お願いします。

李 [Q]：モルガン・スタンレーの李です。ありがとうございます。たればの話で大変恐縮なんですけども、deramiocel のところで、ちょっともう 1 回フォローアップさせてください。

先ほど山木田さんのコスト管理をどこまで本気でやるのかというところなんですけども、仮にちょっと残念な結果だった場合、御社の来期以降の deramiocel のウエートがかなり高かったとは思いますが、来期は 1 回ちょっとガクッと落ちると考えておけばよろしいでしょうか。

もしくは、そんなことさせないよ、コスト管理ちゃんとやるよ、来期も落ちるけどそこまで落ちないよの、どちら側のカラーになりますか。こちらフォローアップさせてください。

中井 [A]：どこまで落ちるの絶対値の数字で、李さんとわれわれとの認識がどこまで合っているのかというのちょっとわからないんですけども。われわれとしては、聖域なく、ではないですけども、しっかりとコストコントロールをしまして、パテントクリフがやってきても、ある程度の利益が出せるような形で、2027 年度、2028 年度を迎えたいと考えているということでございます。

その姿につきましては、また改めてご案内させていただくタイミングもあるかと思っておりますので、そちらをお待ちいただければと考えております。

李 [Q]：ありがとうございます。今のお話なんですけども、要は、中計のリバイズを示唆されているのかなと思ったんですけども、やはり今中計は多少リバイズが必要になると、そのように見ていたほうがよろしいですかね。

中井 [A]：それも含めて、先ほど 14 ページで書かせていただいている取り組みをもとに、どのように日本新薬の会社の姿がなっていくのかというような成長戦略を、また改めてお示ししたいと考えております。

李 [Q]：ありがとうございます。最後に、新薬についてです。ビルテプソなんですけども、競合が追加の試験なしで申請されて、川村さんからその可能性について質問があったと思うんですけども。一方、欧州とか中国、そこの承認を見据えると、もう 1 本新しい試験をやったほうがいいのかとも思っているんですけども、そういう考え方でよろしいでしょうか。いかがでしょうか。

桑野 [A]：ご指摘のように、欧州や中国で承認を得ようと思うと、フェーズ 3 試験の成功が必要ですので、われわれが今やろうとしているフェーズ 3 試験をするというのは、その方向性、延長線上にあると思っています。

李 [M]：わかりました。大変クリアになりました。ありがとうございます。以上です。

井上 [M]：みずほ証券、田中さん、2 回目のご質問でよろしいでしょうか。

田中 [Q]：すみません、2 回目、よろしくお願いします。NS-089 が 1 年だけですけど後ろ倒しになっていると思うんですけど。一応フェーズ 2 のトップラインは、ちょっと遅れているけど今期中には出ると聞いていたんですが、どのくらい遅れそうなのかというのをまず一つ教えてください。

桑野 [A]：これはパート 1 とパート 2 からなる試験でして、実はパート 1 のところが、1 年以上前からずるずる遅れているところがございました。ということなので、どこかでスケジュール修正が必要だとは考えていたんですけれども、このタイミングで発表させていただきました。大体で言うと、数カ月と思っていただけたらと思います。見かけ上は、この表は 1 年ずつで書いているので、1 年と捉えられるかもしれませんが、数カ月と思っていただけたらと思います。

現在パート 2 の試験を行っていますが、ここは非常に順調に進んでおりますので、これ以上のスケジュールの遅れがないように進めていきたいと考えています。以上です。

田中 [Q]：基本的には、他社も行っているように、ジストロフィンの発現で迅速承認が取れるという、そういう見方を変えてないということですね。

桑野 [A]：はい。現状はその前提で進めております。

田中 [Q]：あともう一つだけ、ボストン小児病院との契約で、対象疾患はてんかんだと聞いていたんですけど、それでよかったかなというのと。あとフィンテプラをやっているとはいえ、御社がそんなにてんかんに対応できるような研究があったっけというところがあって、今回そういう研究を選んだ背景を教えてください。

桑野 [A]：当社、難病希少疾患に注力しておりまして、その中でもいくつかの領域に力を入れているわけですが、そのうちの一つが神経筋領域ということになります。これはビルテプソもそうですし、ご指摘いただいたフィンテプラもそうです。

われわれとして、てんかんに関しては、非常に重要な、将来的にも有望な領域だと考えておりまして、そういうこともありまして、ぜひ世界でも有数の機関と共同研究するなら、この疾患がいろいろということ、今回進めようとしているということです。以上です。

田中 [Q]：何かその種みたいなのは。もうある程度、3年間ぐらいですね。

桑野 [A]：3年、そうですね、数年間ですね。

田中 [Q]：数年間もあるんですか。その間に具体的な、もう既にある程度、ターゲットとか、化合物のめどはついているのか、全くゼロからなのか。教えてください。

桑野 [A]：やはりあまり詳しいことはお話できないんですけれども、われわれとしても、そういう実際に創薬に繋がるかどうかということも踏まえて提携先を選定しておりますので、ある程度そういうことが望めるようなところと研究しているとご理解いただけたらと思います。

田中 [M]：わかりました。ありがとうございました。

井上 [M]：まだまだご質問があるかと思いますが、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。東京海上アセットマネジメント 水野さん、お願いします。

水野 [Q]：オプション行使をした AB2 BIO の薬なんですけれども、いろいろと資料見てたり、AB2 BIO のホームページを見てたりしても、そもそもどのぐらいの頻度で患者さんが出てくるのかというのがちょっとよくわからないので、希少疾患だと思うんですけども、どのぐらい希少なのかということと。

あと、AB2 BIO は、この薬で、別の適応でも一応臨床試験やっているみたいなんですけれども、それに御社は今後関わってくるのか、それとも今回行使されたオプションというのは、あくまでもこの適応なのか。その辺はいかがでしょうか。

中井 [A]：非常に希少ということで、大体の推定患者数をご紹介しますと、NLRC4 異常症につきましては、有病率が 100 万人当たり 1.7 人というような疾患です。アメリカの推定患者数は、それに従うと大体 600 人ぐらいです。

一方、XIAP 欠損症、こちらは有病率が 100 万人当たり 0.5 人です。アメリカの推定患者数は大体 200 人ということで、合計 800 人ぐらいが推定される患者数なんですが、この患者数からしっかりと疾患を診断していただきながら投与に繋げていくというような活動が、この Tadekinig alpha で必要な活動でございます。

ほかの適応症については、AB2 BIO が成人スチル病を対象とした海外第 2 相試験をやったというようなことは聞いておりますけれども、現時点、その疾患に関する権利は持っておりませんので、そこにつきましては、また協業が進む中で提携の可能性もないわけではないかと考えております。

水野 [Q]：ありがとうございます。補足なんですけども、この疾患は、診断からの生存期間がすごく短い、数カ月というような感じで、AB2 BIO の資料には書いてあるので、今回の試験によってそれがどのぐらい延長されるのかということと、あとそれで延長されるのであれば、患者さんは 600 人よりも、生存率が高まることによってもっと増えていくことがあるのか。その辺はいかがでしょうか。

中井 [M]：事務局わかりますか。

別府 [A]：事務局の研開企画統括部の別府です。この薬で生存期間が延びて患者数が増えることはないのかというご質問ですが、患者さんが少ない疾患で、まだ投与例数もそんなに多くはないです。ですので、生存期間の延長に繋がるかというところまでのエビデンスはまだ得られておりません。

ただ、バイオマーカー的な有効性は既に得られておりますので、この薬が承認されて使われるようになれば、そのような可能性もあるかと考えています。

投与期間中の再燃までの期間というのは臨床試験で測定されていますが、その再燃までの期間については延長傾向を示しているということですので、これが生存延長に繋がれば、そういう可能性もあるかと考えております。以上です。

水野 [M]：著作権はおそらく AB2 BIO にあるので、御社として勝手にデータを開示するわけにいかないと思うんですけれども、できるだけ臨床試験データ、この承認申請に至るようになったデータだとか、開示できる段階でぜひ教えていただければと思います。ありがとうございます。

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。

日刊工業新聞社、阿部さん、お願いします。

阿部 [Q]：日刊工業新聞の阿部と申します。二つございます。一つは、コストに関連した質問で、もう一つは、本日 14 ページにございました成長などに向けた取り組みの部分についてです。

一つ目のコストの部分なのですが、近年、世界的に原材料、エネルギー、物流費、人件費などの上昇がいわゆる企業の経営に大きな影響をもたらしていると思いますが、御社といたしましては、期初に比べて、特に深刻度が増しているコストの増加要因はどれだにご認識されていらっしゃいますでしょうか。また、その背景や影響度合い、もしよろしければ対応策についてもお聞かせいただけますと幸いです。まずよろしくお願いいたします。

中井 [A]：実際に中東情勢の影響などで、原材料等、特に当社の場合は、包装資材の価格の上昇、あとは物流費の高止まりや円安による海外費用の増加は確認されています。ただし、現時点で、事業ですとか供給面で大きな影響はございませんというのが回答です。

実際にどういうことをしているのかについては、調達の見直しやコスト低減策を通じて、影響を最小限に留めるようにというところでコントロールできているというような状況でございます。

阿部 [Q]：ありがとうございます。では 2 点目、お伺いいたします。スライド 14 ページの収益の構造改革の部分で、売上・費用構造の見直しとございますが、こちら具体的に言いますと、どういったことが考えられますでしょうか。

例えば、特定領域への依存度を低減されたりでしたりとか、R&D の配分の中の、いわゆる投資の配分の見直しでしたりとか、もし現時点で何か具体的にご教示いただけることがございましたら、お聞かせいただけないでしょうか。

中井 [A]：実際に 14 ページの左側、研究開発資源の最適配分につきましては、研究開発資源は制限していきますので、その限られた資源の中で品目ごとに開発リスクでありましたり、事業性や競争環境などを評価したりして、どの品目に注力、投資していくのかということを行っていくとご理解いただければと思います。

真ん中の戦略的アライアンスのところでは、導出については、先ほどの左の部分から、自社だけではしないというようなものは導出していくということで、それで投資を回収していくというようなことも行いますし、われわれが取り扱う導入、販売提携につきましては、後期の開発品、上市が間近の開発品などを導入することで、成長ドライバーの一つとして加えていくということ。

また、右側にございます収益構造改革につきましては、先ほどのアライアンス・導入を通じて売上を伸ばしていくでありましたり、あとは費用構造につきましては、全日本新薬グループの中で費用構造も改めて聖域なく見直していったって、きちんと収益管理をしていくことを通じて成長をしていこうというものでございます。

阿部 [M]：ありがとうございます。以上でございます。

井上 [M]：日経新聞、石井さん、お願いします。

石井 [Q]：日本経済新聞の石井と申します。よろしくお願いします。まず2点ございまして、1点目は、同じく14ページのスライドについてなんですけれども。今、研究開発資源の最適配分の優先順位は限られた資源を品目ごとに評価するということをおっしゃっていただいたんですけど、これまでとの違いというのが何かもしあれば、改めて教えていただければと思います。

中井 [A]：今回 deramiocel が不承認になった場合などの取り組みとしてご紹介しているものです。ですので、これまでは deramiocel が承認になった場合は、当社の成長に大きな貢献をしてけると期待していた前提で、研究開発資源を配分していこうという前提で考えておりました。

今回それがもし不承認になった場合については、このあたりを、研究開発資源が限られますので、より優先順位をきちんとつけて、ちょっと優先度が下がるものについては開発を進めることを自社だけではやらないということ、また、もしかしたらもうやめる品目なども出てくるかもしれないというようなところがこれまでとは違うということでございます。

石井 [Q]：ありがとうございます。ちなみに戦略的アライアンスの販売提携などの推進とかも、これまでとの違いというのはあったりするのでしょうか。

中井 [A]：戦略的アライアンスにつきましては、これまでは、当面は成長が持続するトップラインといいますか、売上も成長していくというような前提で考えておりましたので、戦略的なアライアンスにつきましても、よりアーリーなもの、導入品でありましたり、あとは創薬力を向上させるための技術の提携であったり、共同研究といったところに力を入れていこうと考えておりましたけれども、もし不承認になった場合は、より後期のほうにそういうアライアンスの機会を求めていくというようなことで、そこが違うとご認識いただければと思います。

石井 [Q]：ご丁寧にありがとうございます。質問の2点目なんですけれども、今回の第1四半期の営業利益と純利益は、対上期の進捗が7割を超えているというところで好調だったのにもかかわらず、業績予想というのを据え置いた理由というのがもしありましたら教えていただきたいです。

枝光 [A]：進捗におきましては、好調な面もありますけれども、全体的に考えますと、ほぼ計画通り、プラスアルファで推移していまして、業績予想を変更するということまでは至らないのかなと判断しております。以上です。

石井 [M]：ありがとうございます。

井上 [M]：医薬経済社、坂口さん、お願いします。

坂口 [Q]：医薬経済社の坂口です。ありがとうございます。1点だけ、中井社長にお伺いします。Deramiciel の FDA の諮問委ですけれども、こちらについてどう受け止めてらっしゃいますでしょうか。率直なご感想をお聞きしたいです。

中井 [A]：諮問委員会の結果はお示した通りでございます、残念ながら否定的な見解だったということで。ただ、諮問委員会の結果は FDA の最終判断そのものではないので、当社としては今後の FDA の審査結果を待つということだけに尽きるかなと考えております。

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]：それではほかにご質問がないようですので、これで質疑応答セッションを終了させていただきます。

以上をもちまして、日本新薬株式会社 2026 年度第 1 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。