# 2022年度
# 決算説明会

2023年5月15日
日本新薬株式会社

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

# 2022年度業績と
# 2023年度業績見通し

代表取締役社長　中井 亨

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

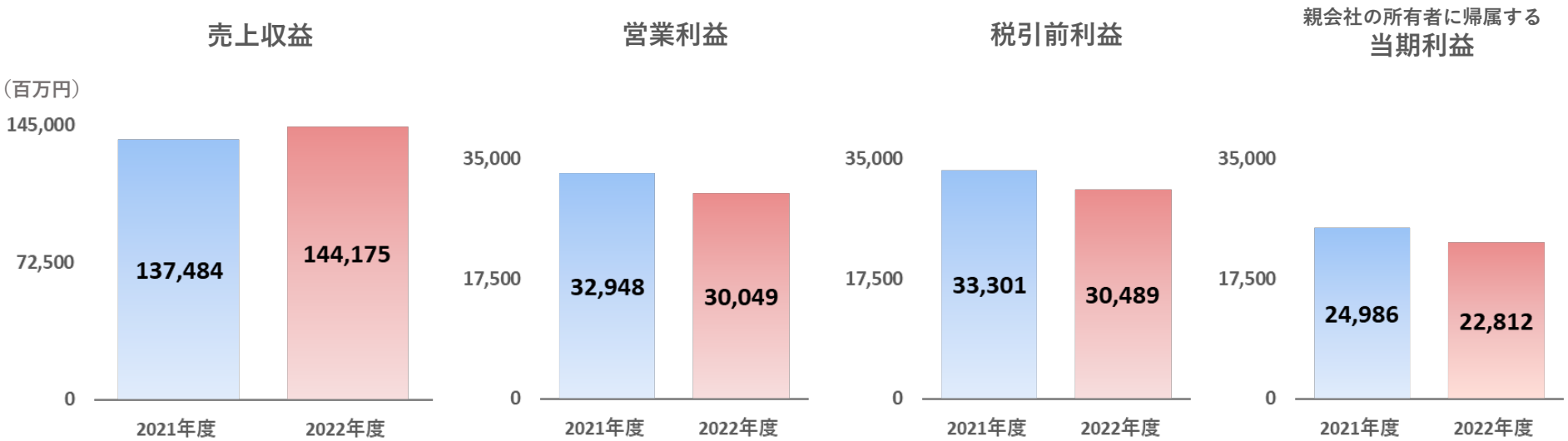
# 2022年度 概要

◆ 売上収益　：　144,175 百万円　（対前期比 ＋ 4.9% ）

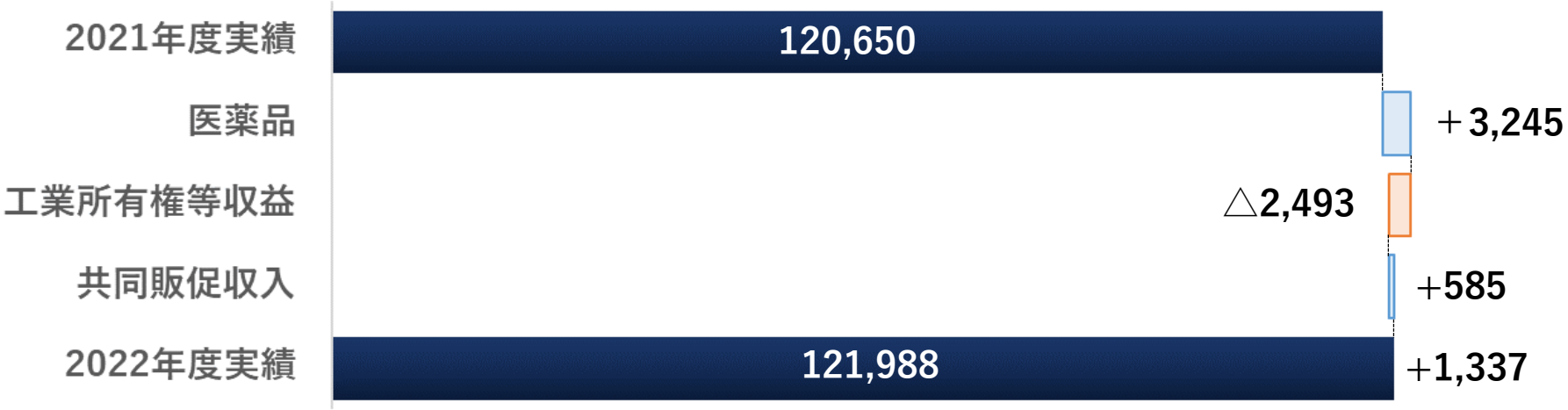
◆ 営業利益　：　30,049 百万円　（対前期比 △ 8.8% ）

◆ 税引前利益　：　30,489 百万円　（対前期比 △ 8.4% ）

◆ 親会社の所有者に帰属する当期利益　：　22,812 百万円　（対前期比 △ 8.7% ）



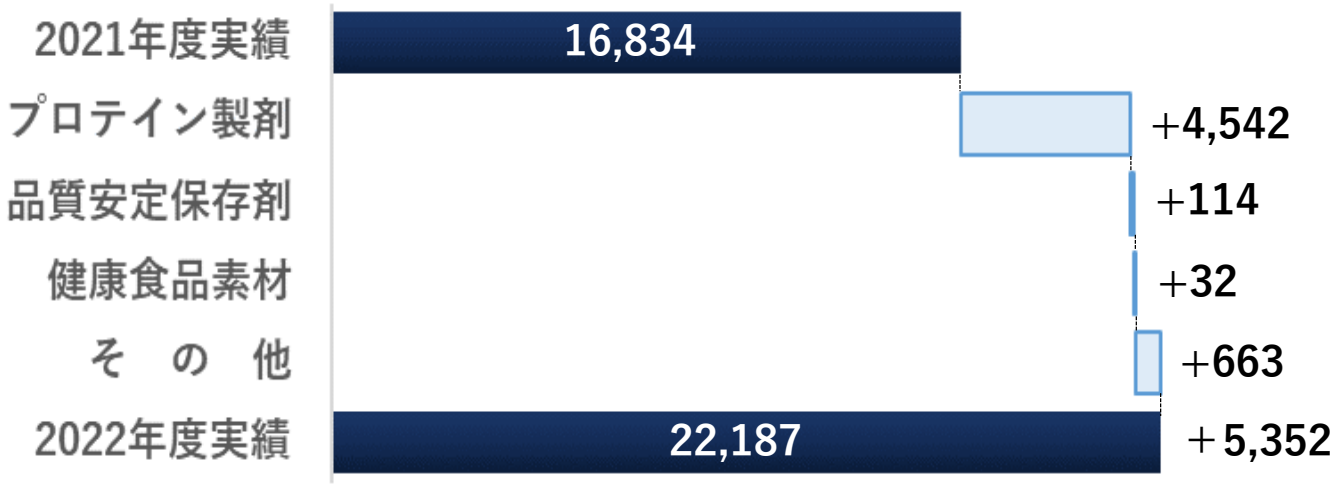
# 医薬品売上収益 の 内訳




| （百万円） | 2021年度 実績 | 2021年度 売上比 | 2022年度 実績 | 2022年度 売上比 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 医薬品 | 78,508 | 65.1% | 81,753 | 67.0% | +3,245 | +4.1% |
| 工業所有権等収益 | 33,207 | 27.5% | 30,714 | 25.2% | △ 2,493 | △ 7.5% |
| 共同販促収入 | 8,934 | 7.4% | 9,520 | 7.8% | +585 | +6.6% |
| 医薬品合計 | 120,650 | 100.0% | 121,988 | 100.0% | +1,337 | +1.1% |

薬価改定の影響、優先審査バウチャーの売却一時金収入の反動があったものの、
「ウプトラビ」、「ビルテプソ」等の医薬品売上の伸長、
「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、
医薬品売上収益は1.1%の増収となりました。

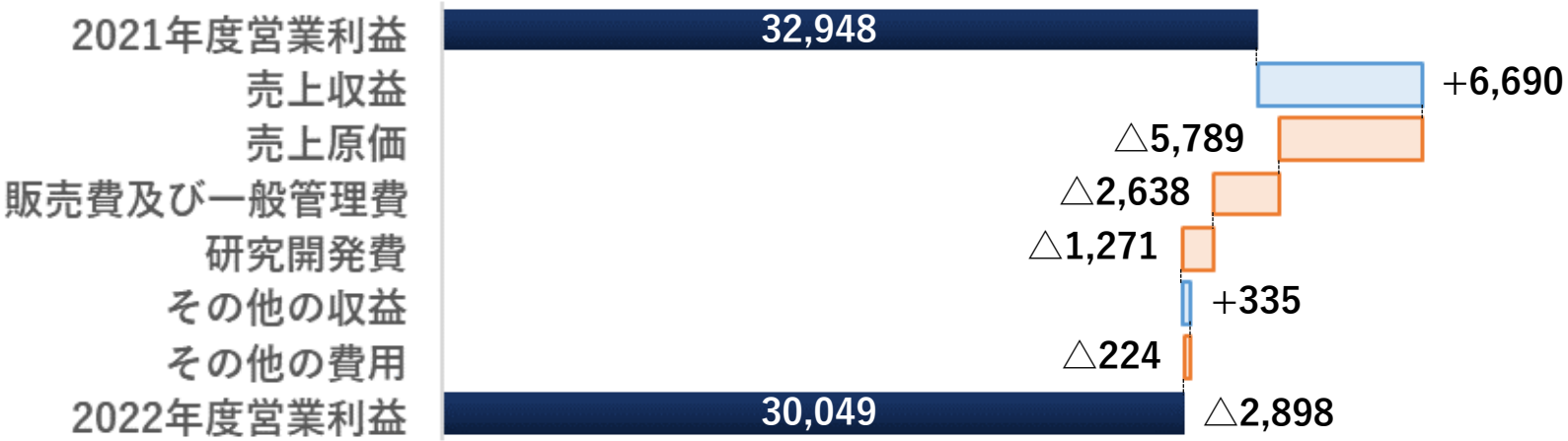
# 機能食品売上収益 の 内訳




| （百万円） | 2021年度 | | 2022年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 実績 | 売上比 | | |
| プロテイン製剤 | 10,841 | 64.4% | 15,383 | 69.3% | +4,542 | +41.9% |
| 品質安定保存剤 | 2,790 | 16.6% | 2,905 | 13.1% | +114 | +4.1% |
| 健康食品素材 | 1,085 | 6.4% | 1,118 | 5.0% | +32 | +3.0% |
| そ の 他 | 2,116 | 12.6% | 2,779 | 12.6% | +663 | +31.3% |
| 機能食品合計 | 16,834 | 100.0% | 22,187 | 100.0% | +5,352 | +31.8% |

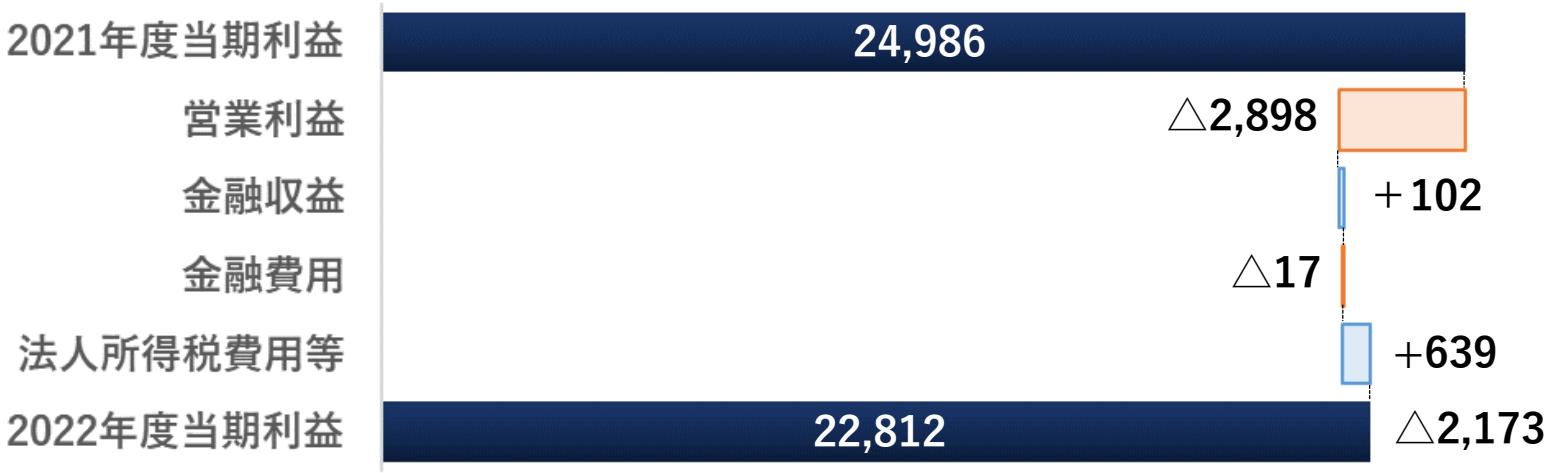
新型コロナウイルス感染症に伴う影響の緩和による需要の回復や、原材料価格上昇分の販売価格への転嫁によりプロテイン製剤等の売上が増加し、機能食品売上収益は31.8%の増収となりました。

# 営業利益




| （百万円） | 2021年度 | | 2022年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 実績 | 売上比 | | |
| 売上収益 | 137,484 | 100.0% | 144,175 | 100.0% | +6,690 | +4.9% |
| （医薬品） | (120,650) | (87.8%) | (121,988) | (84.6%) | (+1,337) | (+1.1%) |
| （機能食品） | (16,834) | (12.2%) | (22,187) | (15.4%) | (+5,352) | (+31.8%) |
| 売上原価 | 50,191 | 36.5% | 55,980 | 38.8% | +5,789 | +11.5% |
| 販売費及び一般管理費 | 32,173 | 23.4% | 34,812 | 24.1% | +2,638 | +8.2% |
| 研究開発費 | 22,863 | 16.6% | 24,135 | 16.7% | +1,271 | +5.6% |
| その他の収益 | 1,573 | 1.1% | 1,908 | 1.3% | +335 | +21.3% |
| その他の費用 | 882 | 0.6% | 1,106 | 0.9% | +224 | +25.4% |
| 営業利益 | 32,948 | 24.0% | 30,049 | 20.8% | △ 2,898 | △ 8.8% |

# 親会社の所有者に帰属する当期利益




| （百万円） | 2021年度<br>実績 | 2022年度<br>実績 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 営業利益 | 32,948 | 30,049 | △ 2,898 | △ 8.8% |
| 金融収益 | 472 | 575 | ＋102 | ＋21.7% |
| 金融費用 | 119 | 136 | ＋17 | ＋14.3% |
| 税引前利益 | 33,301 | 30,489 | △ 2,812 | △ 8.4% |
| 法人所得税費用等 | 8,315 | 7,676 | △ 639 | △ 7.7% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 24,986 | 22,812 | △ 2,173 | △ 8.7% |

# 2023年度 連結業績予想

| （百万円） | 2022年度<br>実績 | 2023年度<br>予想 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 売上収益 | 144,175 | 145,000 | +825 | +0.6% |
| 営業利益 | 30,049 | 32,000 | +1,951 | +6.5% |
| 税引前利益 | 30,489 | 32,500 | +2,011 | +6.6% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 22,812 | 25,000 | +2,187 | +9.6% |

売上収益、営業利益、税引前利益、当期利益ともに前期に比べ、
増収・増益を見込んでいます。

# 医薬品売上収益予想 の 内訳

| （百万円） | 2022年度 | | 2023年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | |
| 医薬品 | 81,753 | 67.0% | 79,200 | 64.2% | △ 2,553 | △ 3.1% |
| 工業所有権等収益 | 30,714 | 25.2% | 35,000 | 28.3% | +4,286 | +14.0% |
| 共同販促収入 | 9,520 | 7.8% | 9,300 | 7.5% | △ 220 | △ 2.3% |
| 医薬品合計 | 121,988 | 100.0% | 123,500 | 100.0% | +1,512 | +1.2% |

薬価改定や後発品の影響があるものの、
「ビルテプソ」、「ウプトラビ」などの伸長に加え、
「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長により、
増収を見込んでいます。

# 機能食品売上収益予想 の 内訳

| （百万円） | 2022年度 | | 2023年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | |
| プロテイン製剤 | 15,383 | 69.3% | 14,200 | 66.0% | △ 1,183 | △ 7.7% |
| 品質安定保存剤 | 2,905 | 13.1% | 3,000 | 14.0% | +95 | +3.3% |
| サプリメント | 1,428 | 6.4% | 1,800 | 8.4% | +372 | +26.0% |
| 健康食品素材 | 1,118 | 5.0% | 1,200 | 5.6% | +82 | +7.3% |
| その他 | 1,351 | 6.1% | 1,300 | 6.0% | △ 51 | △ 3.8% |
| 機能食品合計 | 22,187 | 100.0% | 21,500 | 100.0% | △ 687 | △ 3.1% |

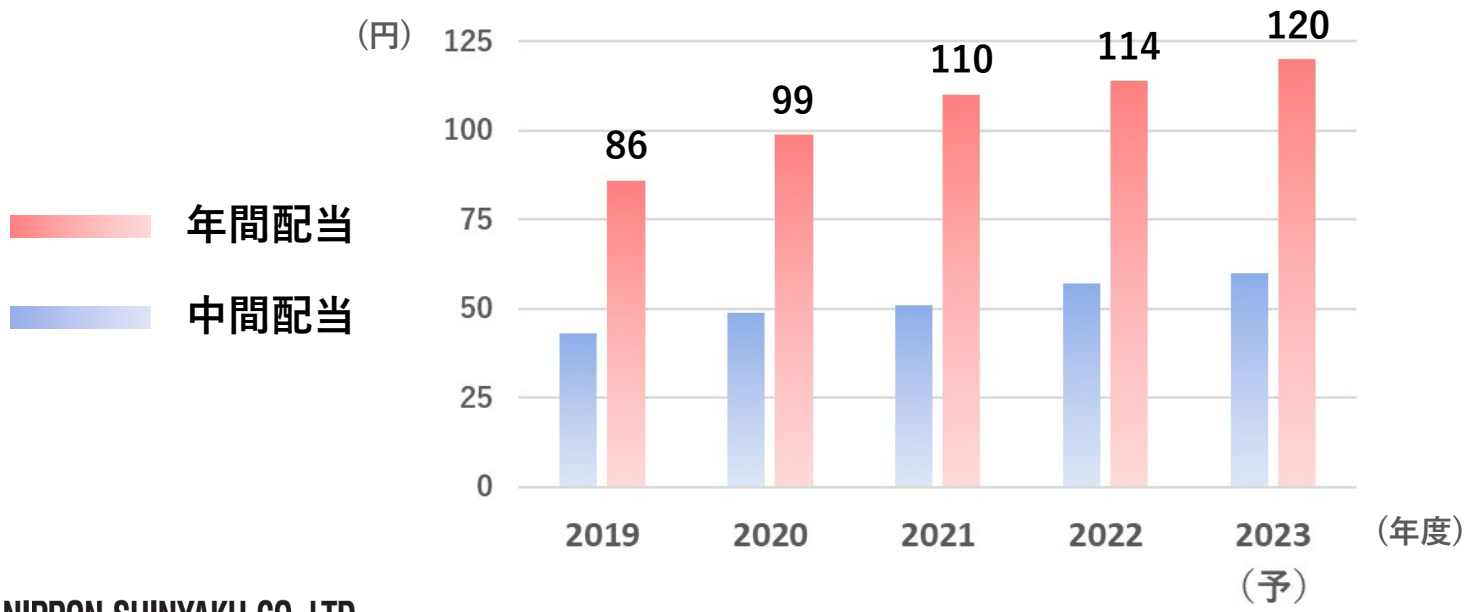
新製品開発・投入に一層注力し、重点品目への取り組みを強化するものの、
一部製品の販売価格低下の影響もあり、減収を見込んでいます。

# 予想損益計算書（連結）

| （百万円） | 2022年度 | | 2023年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | |
| 売上収益 | 144,175 | 100.0% | 145,000 | 100.0% | +825 | +0.6% |
| （医薬品） | (121,988) | (84.6%) | (123,500) | (85.2%) | (+1,512) | (+1.2%) |
| （機能食品） | (22,187) | (15.4%) | (21,500) | (14.8%) | (△ 687) | (△ 3.1%) |
| 売上原価 | 55,980 | 38.8% | 50,000 | 34.5% | △ 5,980 | △ 10.7% |
| 販売費及び一般管理費 | 34,812 | 24.1% | 35,000 | 24.1% | +188 | +0.5% |
| 研究開発費 | 24,135 | 16.7% | 28,000 | 19.3% | +3,865 | +16.0% |
| その他の収益 | 1,908 | 1.3% | 400 | 0.3% | △ 1,508 | △ 79.0% |
| その他の費用 | 1,106 | 0.9% | 400 | 0.3% | △ 706 | △ 63.8% |
| 営業利益 | 30,049 | 20.8% | 32,000 | 22.1% | +1,951 | +6.5% |
| 金融収益 | 575 | 0.4% | 500 | 0.3% | △ 75 | △ 13.1% |
| 金融費用 | 136 | 0.1% | - | - | △ 136 | - |
| 税引前利益 | 30,489 | 21.1% | 32,500 | 22.4% | +2,011 | +6.6% |
| 法人所得税費用等 | 7,676 | 5.3% | 7,500 | 5.2% | △ 176 | △ 2.3% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 22,812 | 15.8% | 25,000 | 17.2% | +2,188 | +9.6% |

# 配当予想

| | | 2022年度 | 2023年度 |
|---|---|---|---|
| 普通株式1株当たり配当金 | 中間配当金 | 57 円 | 60 円 |
| | 年間配当金 | 114 円 | 120 円 |
| 基本的1株当たり当期利益 | | 338.70 円 | 371.18 円 |
| 配当性向（連結） | | 33.7 % | 32.3 % |



# 第六次5ヵ年中期経営計画目標との差異

| （百万円） | 2023年度<br>中計目標 | 2023年度<br>予想 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 売上収益 | 150,000 | 145,000 | △ 5,000 | △ 3.3% |
| 営業利益 | 40,000 | 32,000 | △ 8,000 | △ 20.0% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 30,000 | 25,000 | △ 5,000 | △ 16.7% |

**第六次5ヵ年中期経営計画目標 主な未達理由：**

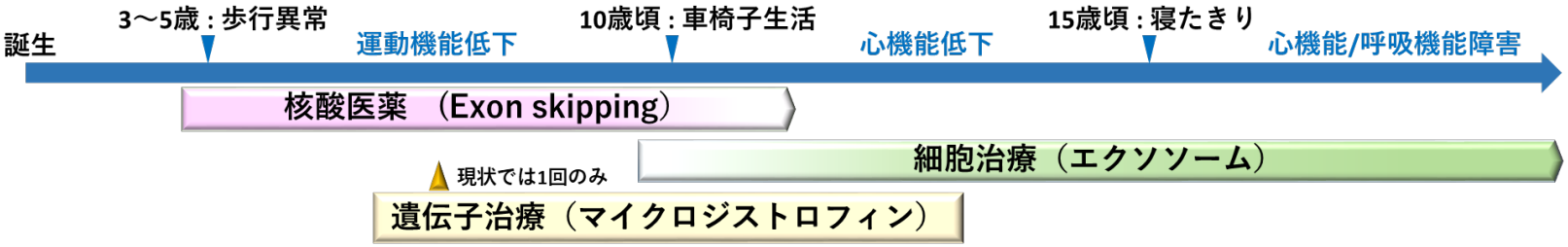
**新型コロナウイルス感染症の影響**
- 米国ビルテプソの立ち上がりの遅れ

**中間年の薬価改定の影響**
- 国内製品売上の減少

**現在開発中の核酸医薬品群や細胞治療薬に加え、
遺伝子治療などの新規モダリティや、
DMD領域以外のパイプライン品目の開発を進めることで、
長期的な成長を実現します。**

# DMD治療における3つの治療法の位置づけ

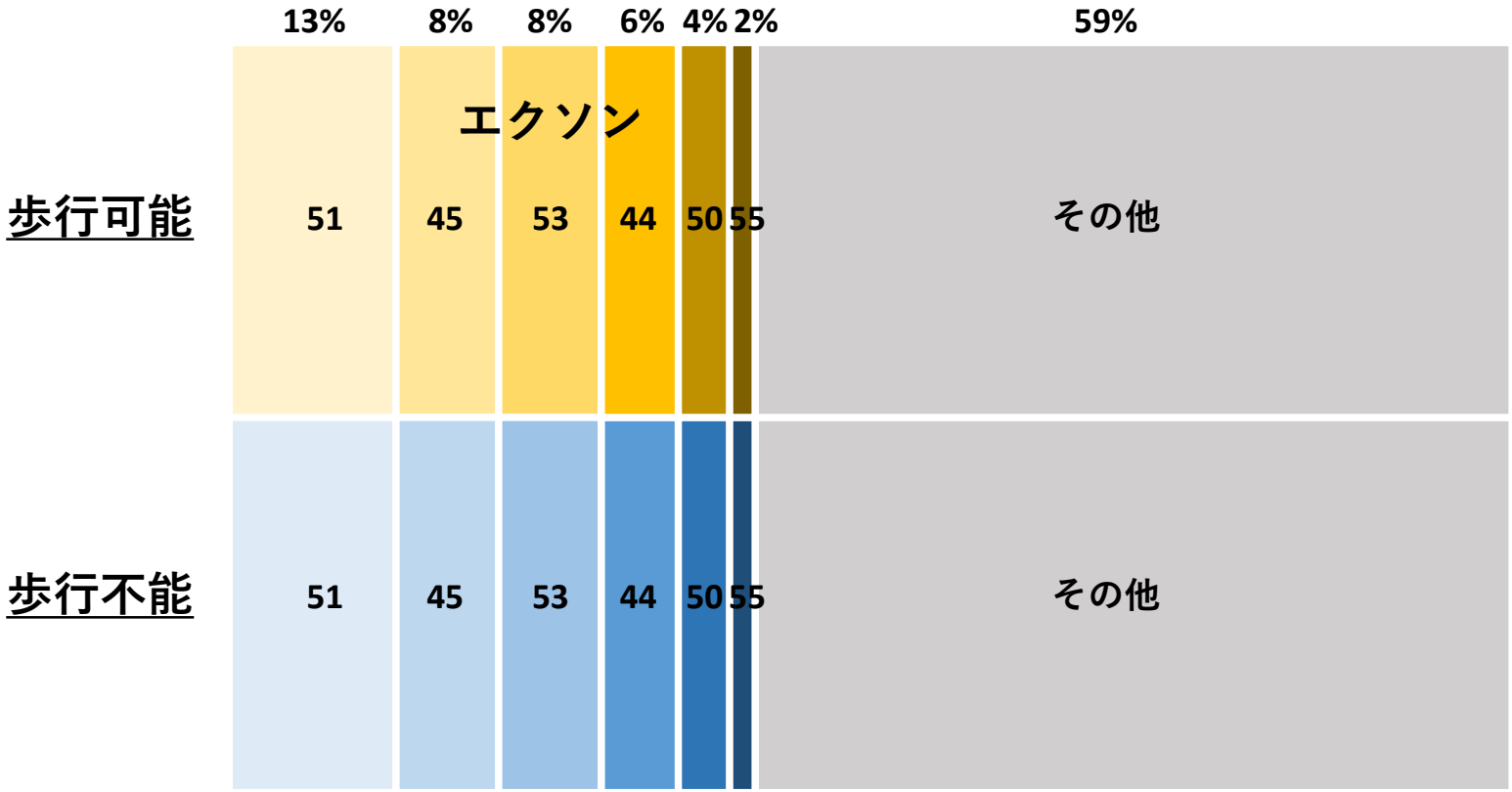
| 治療 | 長所 | 短所 |
|---|---|---|
| **核酸医薬（Exon skipping）** | ・複数回投与が可能<br>・長期の安全性･薬効のデータあり | ・対象患者が絞られる<br>・治療効果は骨格筋のみ |
| **細胞治療（エクソソーム）** | ・骨格筋だけで無く､心臓にも作用する可能性あり<br>・歩行不能の患者さんの上腕機能を改善出来る可能性あり | ・歩行可能者に効果があるかどうか不明<br>・細胞の規格･流通の難易度が高い |
| **遺伝子治療（マイクロジストロフィン）** | ・骨格筋だけでなく心臓にも有効な可能性あり<br>・エクソンスキッピング対象以外を対象患者に出来る可能性あり | ・高用量全身投与による免疫毒性<br>・現時点で複数回投与は困難<br>・短鎖化ジストロフィンで運動機能が十分に改善するか不明 |



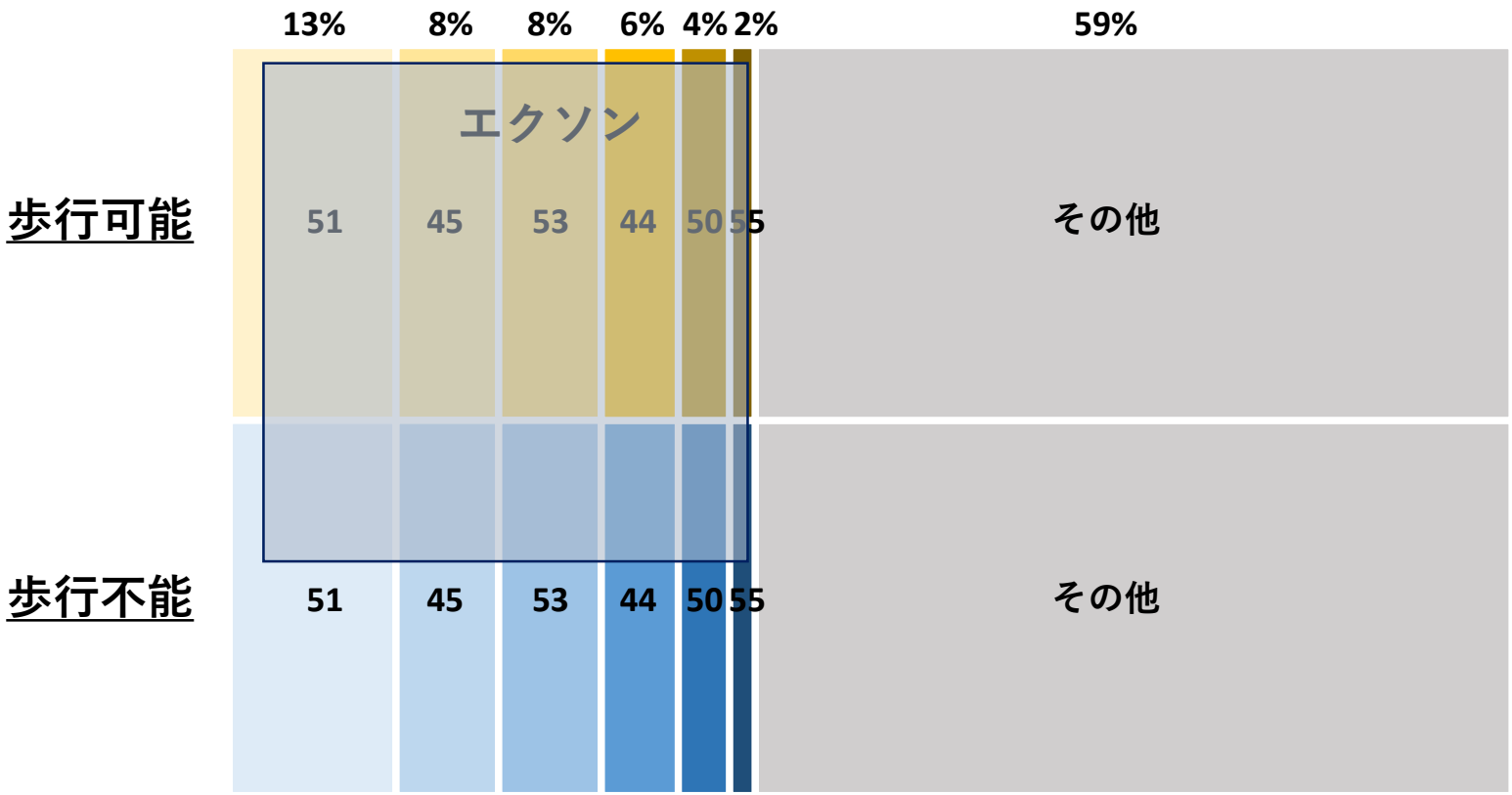

- **年齢が低い時期：エクソンスキッピングにて治療し筋肉量を維持**
- **年齢が上がり筋肉量が減少した時期：遺伝子治療へ切り替え**
- **遺伝子治療の効果が減弱した時期：再びエクソンスキッピング治療に戻る or 細胞治療へ切り替え**

**患者さんの遺伝的背景や状況､時期に応じて、最適な治療の組み合わせがあります。**

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合

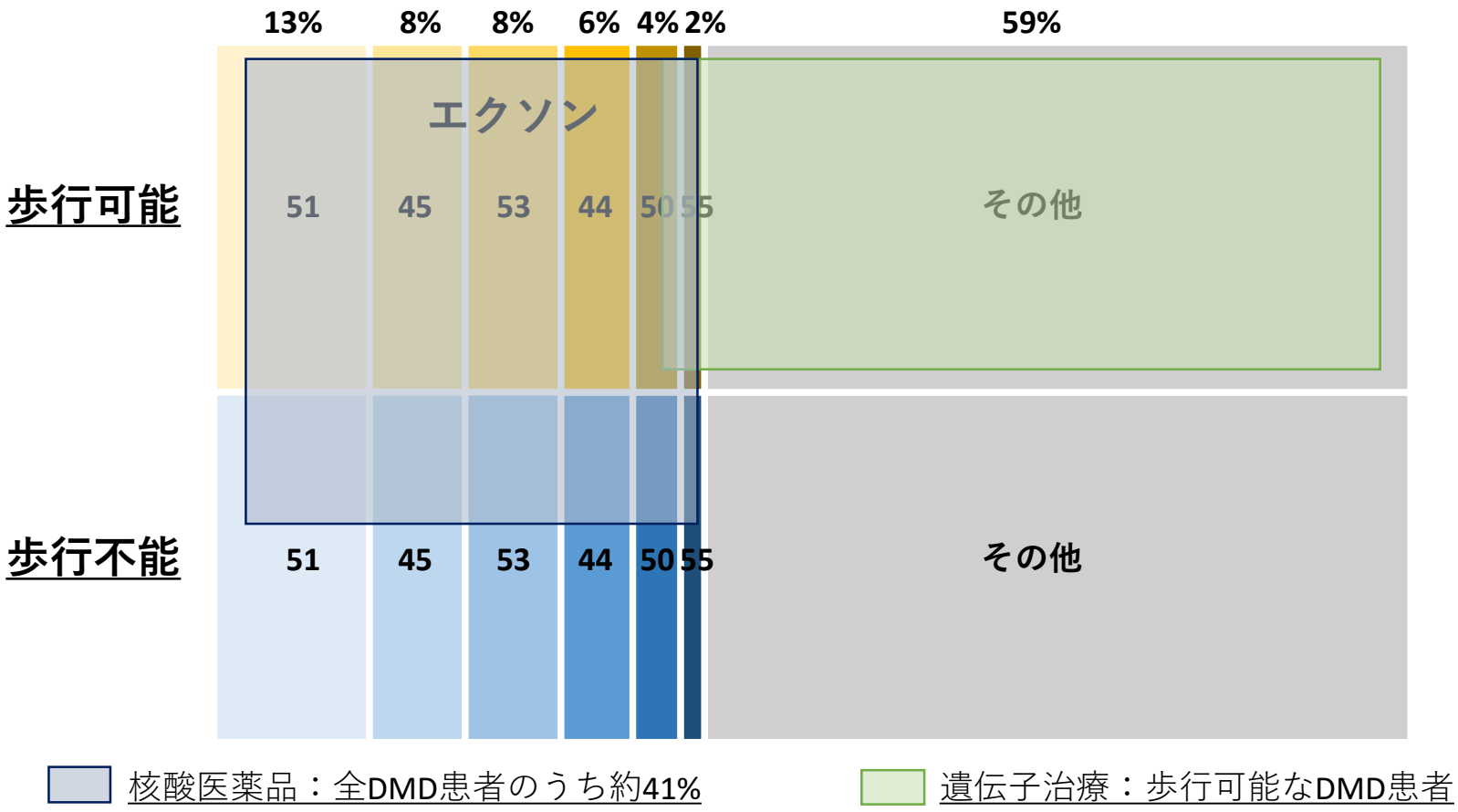


# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合

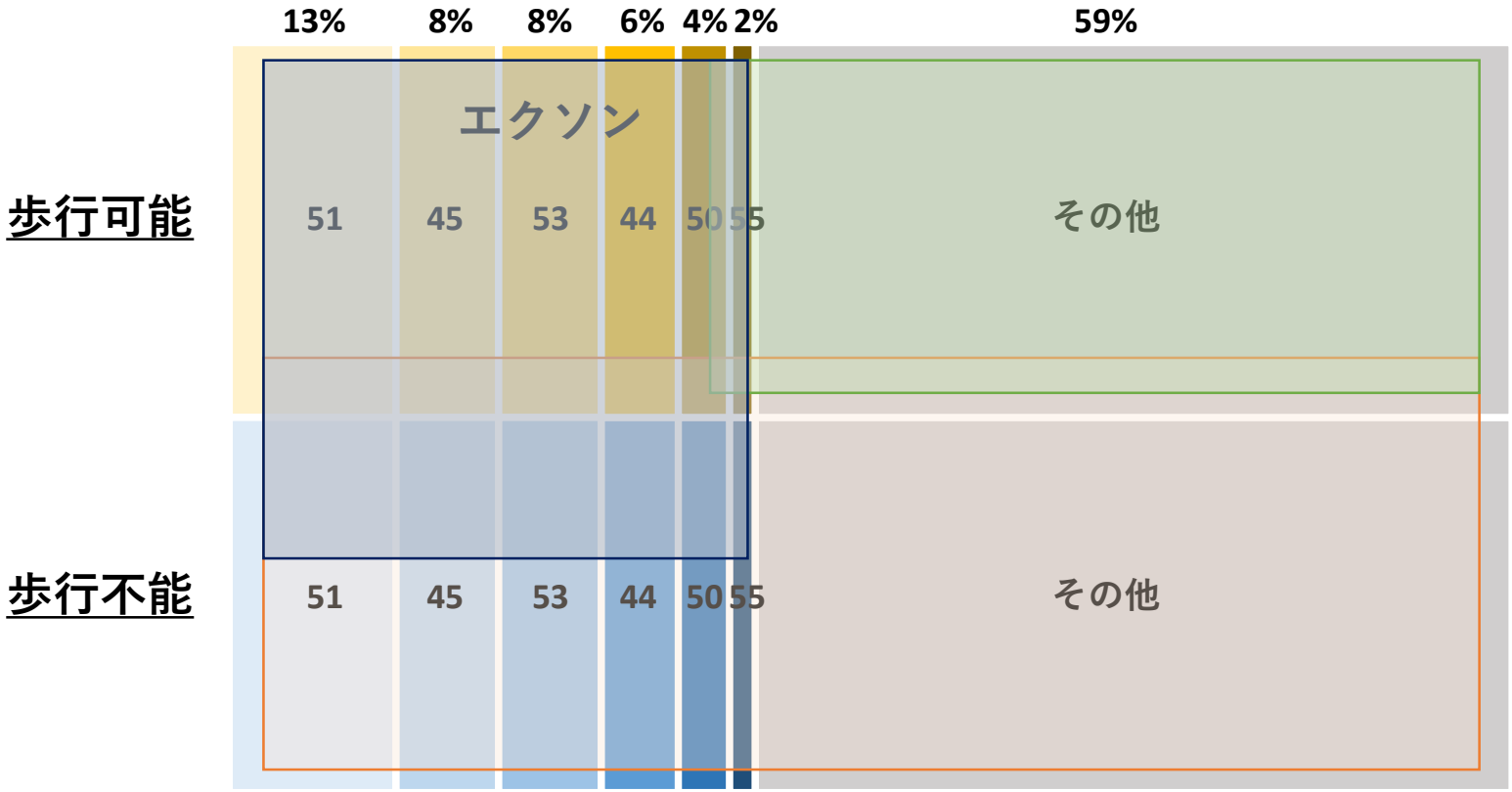



核酸医薬品：全DMD患者のうち約41%

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合



# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合

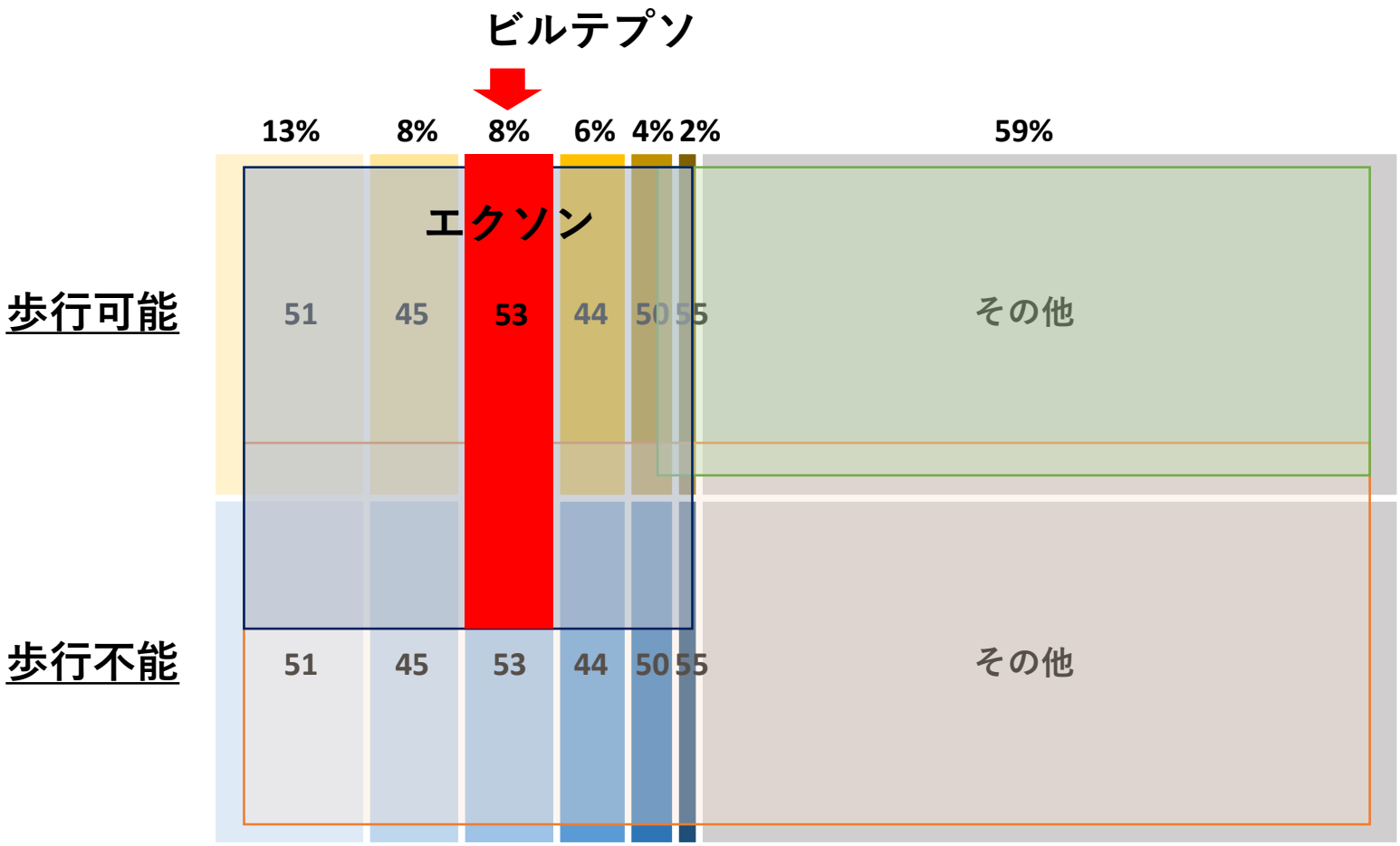



核酸医薬品：全DMD患者のうち約41%

遺伝子治療：歩行可能なDMD患者

細胞治療　：歩行能力低下／歩行不能なDMD患者

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合



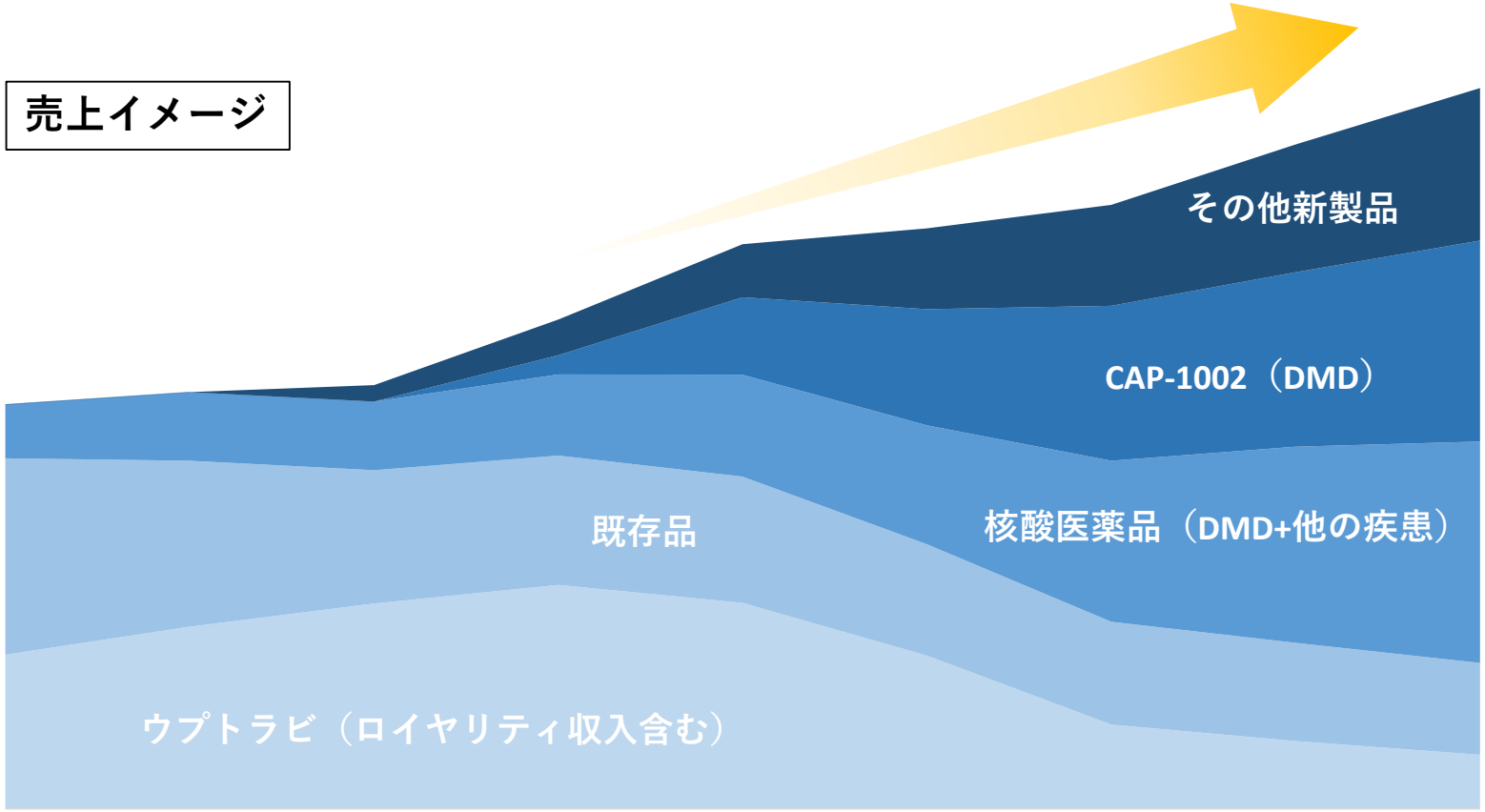

核酸医薬品：全DMD患者のうち約41%

遺伝子治療：歩行可能なDMD患者

細胞治療　：歩行能力低下／歩行不能なDMD患者

**将来的に、全DMD患者へ治療薬を提供します。**

# 持続的な成長を目指して




**その他新製品**
**(自社創製品)**

- NS-018
- NS-580
- NS-229
- NS-025
- NS-161

etc.

**ウプトラビのパテントクリフを乗り越え、核酸医薬品群、CAP-1002、自社創製品などにより、売上収益3,000億円企業を目指します。**

# 研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当　高垣 和史

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

# 研究開発の進捗状況（国内）

| 開発品目 | 申請区分 | 適応症等 | PI | PI／II準備中 | PI／II | PII準備中 | PII | PIII | 発売 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| NS-065/NCNP-01<br>（ﾋﾞﾙﾄﾗﾙｾﾝ）<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | PIII<br>実施中 | |
| ZX008<br>（ﾌｪﾝﾌﾙﾗﾐﾝ塩酸塩）<br>（導入） | 新効能 | レノックス・ガストー症候群 | | | | | | | |
| GA101<br>（ｵﾋﾞﾇﾂｽﾞﾏﾌﾞ）<br>（導入） | 新効能 | ループス腎炎 | | | | | | | |
| | 新効能 | 小児特発性ネフローゼ症候群 | | | | | | | |
| NS-304<br>（ｾﾚｷｼﾊﾟｸﾞ）<br>（自社） | 新効能 | 閉塞性動脈硬化症 | | | | | | | |
| | 新用量 | 小児肺動脈性肺高血圧症 | | | | | | | |
| NS-580<br>（自社） | 新成分 | 子宮内膜症 | | | | | | | |

：2022年度第3四半期決算時からの変更箇所

# 研究開発の進捗状況（国内）

| 開発品目 | 申請区分 | 適応症等 | PI | PI／II準備中 | PI／II | PII準備中 | PII | PIII | 発売 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| NS-089/NCNP-02<br>（brogidirsen）<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | | |
| NS-87<br>（daunorubicin / cytarabine）<br>（導入） | 新配合 | 二次性急性骨髄性白血病 | | | | | | | |
| NS-401<br>（tagraxofusp）<br>（導入） | 新成分 | 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍 | | | | | | | |
| NS-050/NCNP-03<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | | |
| NS-229<br>（自社） | 新成分 | 炎症性疾患 | | | | | | | |
| NS-917<br>（radgocitabine）<br>（導入） | 新成分 | 再発・難治性急性骨髄性白血病 | | | | | | | |
| NS-161<br>（自社） | 新成分 | 炎症性疾患 | | | | | | | |
| NS-025<br>（自社） | 新成分 | 泌尿器疾患 | | | | | | | |

：2022年度第3四半期決算時からの変更箇所

# 研究開発の進捗状況（海外）

| 開発品目 | 申請区分 | 適応症等 | PI | PI／II準備中 | PII準備中 | PII | PIII | 発売 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| NS-065/NCNP-01<br>(ﾋﾞﾙﾄﾗﾙｾﾝ)<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | PIII<br>実施中 | |
| CAP-1002<br>（提携） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |
| NS-018<br>(ilginatinib)<br>（自社） | 新成分 | 骨髄線維症 | | | | | | |
| NS-089/NCNP-02<br>（brogidirsen）<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |
| NS-050/NCNP-03<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |

：2022年度第3四半期決算時からの変更箇所

# 参 考 資 料

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

# 2022年度 連結業績

| （百万円） | 2021年度 | | 2022年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 実績 | 売上比 | | |
| 売上収益 | 137,484 | 100.0% | 144,175 | 100.0% | +6,690 | +4.9% |
| （医薬品） | (120,650) | (87.8%) | (121,988) | (84.6%) | (+1,337) | (+1.1%) |
| （機能食品） | (16,834) | (12.2%) | (22,187) | (15.4%) | (+5,352) | (+31.8%) |
| 売上原価 | 50,191 | 36.5% | 55,980 | 38.8% | +5,789 | +11.5% |
| 販売費及び一般管理費 | 32,173 | 23.4% | 34,812 | 24.1% | +2,638 | +8.2% |
| 研究開発費 | 22,863 | 16.6% | 24,135 | 16.7% | +1,271 | +5.6% |
| その他の利益 | 1,573 | 1.1% | 1,908 | 1.3% | +335 | +21.3% |
| その他の費用 | 882 | 0.6% | 1,106 | 0.9% | +224 | +25.4% |
| 営業利益 | 32,948 | 24.0% | 30,049 | 20.8% | △ 2,898 | △ 8.8% |
| 金融収益 | 472 | 0.3% | 575 | 0.4% | +102 | +21.7% |
| 金融費用 | 119 | 0.1% | 136 | 0.1% | +17 | +14.3% |
| 税引前利益 | 33,301 | 24.2% | 30,489 | 21.1% | △ 2,812 | △ 8.4% |
| 法人所得税費用等 | 8,315 | 6.0% | 7,676 | 5.3% | △ 639 | △ 7.7% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 24,986 | 18.2% | 22,812 | 15.8% | △ 2,173 | △ 8.7% |

# 財政状況

| （百万円） | 2021年度 期末実績 | 2022年度 期末実績 | 差異 | | 2021年度 期末実績 | 2022年度 期末実績 | 差異 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 資産 | 219,943 | 237,451 | +17,508 | 負債 | 39,057 | 41,518 | +2,461 |
| （流動資産） | 149,724 | 157,873 | +8,149 | （流動負債） | 32,029 | 35,183 | +3,154 |
| （非流動資産） | 70,219 | 79,578 | +9,359 | （非流動負債） | 7,027 | 6,334 | △ 693 |
| | | | | 資本 | 180,886 | 195,933 | +15,047 |
| 合　計 | 219,943 | 237,451 | +17,508 | 合　計 | 219,943 | 237,451 | +17,508 |

＝資産の部＝

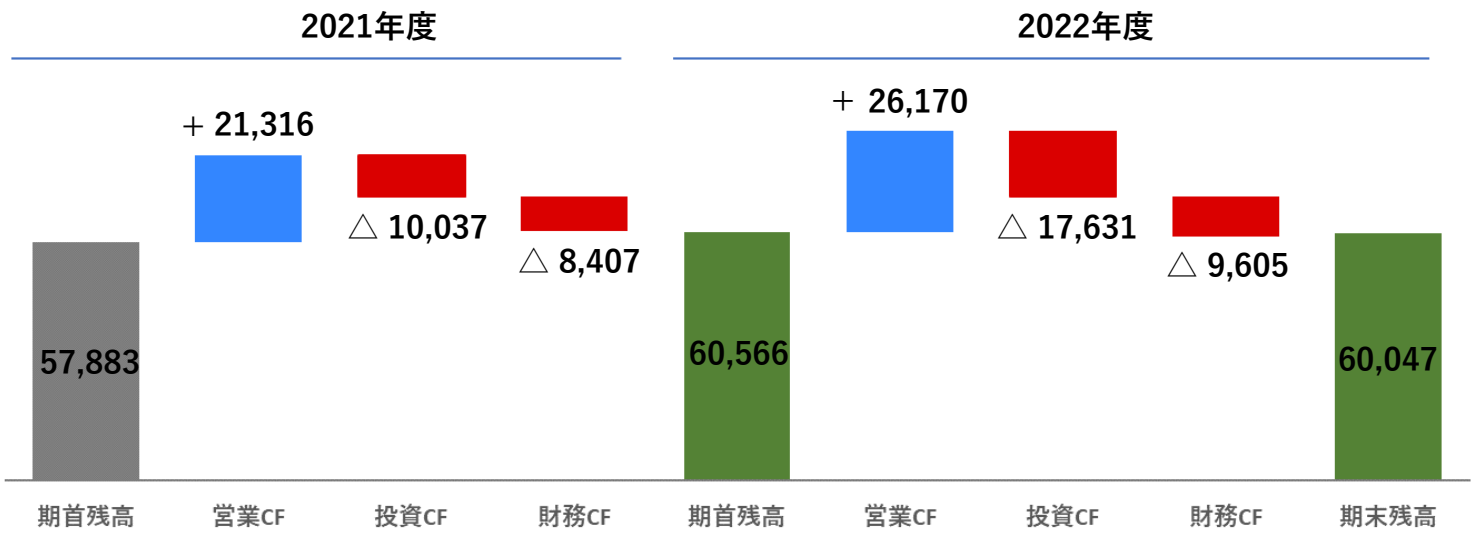
| | |
|---|---|
| 営業債権及びその他の債権 | +1,507 |
| その他の金融資産 | ＋6,380 |
| 有形固定資産 | +3,910 |
| 無形資産 | ＋3,105 |

＝負債・資本の部＝

| | |
|---|---|
| 未払法人所得税等 | ＋3,008 |
| 退職給付に係る負債 | △ 611 |
| 利益剰余金 | ＋15,129 |

# キャッシュ・フローの状況

| （百万円） | 2021年度<br>実績 | 2022年度<br>実績 | 差異 |
|---|---|---|---|
| 営業活動による<br>キャッシュ・フロー | 21,316 | 26,170 | +4,854 |
| 投資活動による<br>キャッシュ・フロー | △ 10,037 | △ 17,631 | △ 7,594 |
| 財務活動による<br>キャッシュ・フロー | △ 8,407 | △ 9,605 | △ 1,197 |
| 現金及び現金同等物の<br>期末残高 | 60,566 | 60,047 | △ 518 |



# ＮＳ-０６５／ＮＣＮＰ-０１ （ビルトラルセン）
# － 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試験実施中

開発形態： 自社開発

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　　型： 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

# 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〉 PⅢ試験

**開発形態：** ユーシービー社（旧ゾジェニックス社）が実施
2019/3 ユーシービー社（旧ゾジェニックス社）より導入

**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：** ドラベ症候群および
レノックス･ガストー症候群

**剤　　型：** 経口液剤

**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）

# ＣＡＰ-１００２
# － デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

**開発段階：** 米国 PⅢ試験
**開発形態：** カプリコール・セラピューティクス社が実施
カプリコール・セラピューティクス社と販売提携契約(2022/1 米国、2023/2 国内)を締結
**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
**剤　　型：** 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

# ＧＡ１０１（オビヌツズマブ）
## －ループス腎炎治療剤、小児特発性ネフローゼ症候群治療剤－

**開発段階：** 〈LN〉PⅢ試験
〈PNS〉PⅢ試験

**開発形態：** 中外製薬株式会社と共同開発
2012/11 中外製薬株式会社より導入

**作用機序：** 抗CD20モノクローナル抗体

**適 応 症：** ループス腎炎（LN）
小児特発性ネフローゼ症候群（PNS）

**剤　　型：** 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

# ＮＳ-３０４ （セレキシパグ）
## － 肺高血圧症治療剤、閉塞性動脈硬化症治療剤 －

**開発段階：** 〈ASO〉 ＰⅡb試験
〈小児PAH〉 ＰⅡ試験

**開発形態：** 〈ASO〉自社開発
〈小児PAH〉
ヤンセンファーマ株式会社と共同開発

**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（ASO）
小児肺動脈性肺高血圧症（小児PAH）

**剤　　型：** 錠剤

**特　　徴：** 長時間作用型経口剤

# ＮＳ-５８０
## － 子宮内膜症治療剤 －

開発段階： ＰⅡb試験
開発形態： 自社開発
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
剤　　型： 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

# ＮＳ-０１８ （ilginatinib）
## － 骨髄線維症治療剤 －

開発段階： グローバルＰⅡ試験
開発形態： 自社開発
作用機序： JAK２阻害
適 応 症： 骨髄線維症
剤　　型： 錠剤
特　　徴： ・強力なJAK２阻害作用と活性型JAK２に対する選択性が高い
・血小板数が少ない骨髄線維症患者に対し、高い有効性と安全性が期待される

# ＮＳ-０８９／ＮＣＮＰ-０２（brogidirsen）
# － 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試験準備中
**開発形態：** 自社開発
**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　　型：** 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

# ＮＳ-８７　（daunorubicin / cytarabine）
# － 二次性急性骨髄性白血病治療剤 －

**開発段階：** ＰⅠ/Ⅱ試験

**開発形態：** 自社開発
2017/3 ジャズ・ファーマシューティカルズ社より導入

**作用機序：** 抗腫瘍効果

**適 応 症：** 二次性急性骨髄性白血病（二次性AML）

**剤　　型：** 注射剤

**特　　徴：**
・シタラビンとダウノルビシンのリポソーム製剤
・国内初の二次性AML治療剤で、最も抗腫瘍効果の高い比率（5：1、モル比）で有効成分を放出することにより、高い有効性と副作用の低減が期待される

# ＮＳ-４０１ （tagraxofusp）
## － 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 －

開発段階： ＰＩ／II 試験
開発形態： 自社開発
2021/3メナリーニ社より導入
作用機序： CD123を標的とする抗がん作用
適 応 症： 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍
剤　　型： 注射剤
特　　徴： IL-3とジフテリアトキシンの融合蛋白質であり、CD123を発現するがん細胞に取り込まれ、がん細胞を死に至らしめることで効果を発現する

# ＮＳ-０５０／ＮＣＮＰ-０３
## － 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ＰＩ／II試験準備中
**開発形態：** 自社開発
**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　　型：** 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

# ＮＳ-２２９
## ― 炎症性疾患治療剤 ―

開発段階：　ＰＩ試験
開発形態：　自社開発
作用機序：　JAK１阻害
適 応 症：　炎症性疾患
剤　　型：　経口剤
特　　徴：　・強力なJAK１阻害作用を有する
　　・JAK１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

# ＮＳ-９１７ （radgocitabine）
## － 再発・難治性急性骨髄性白血病治療剤 －

開発段階： ＰＩ試験
開発形態： 自社開発
2017/3 デルタフライファーマ社より導入
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　　型： 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）

# ＮＳ-１６１
## － 炎症性疾患治療剤 －

開発段階： ＰＩ試験
開発形態： 自社開発
作用機序： 非開示
適 応 症： 炎症性疾患
剤　　型： 経口剤

# ＮＳ-０２５
## ― 泌尿器疾患治療剤 ―

開発段階： ＰＩ試験
開発形態： 自社開発
作用機序： 非開示
適 応 症： 泌尿器疾患
剤　　型： 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。

# 日本新薬株式会社

2023 年 3 月期決算説明会

2023 年 5 月 15 日

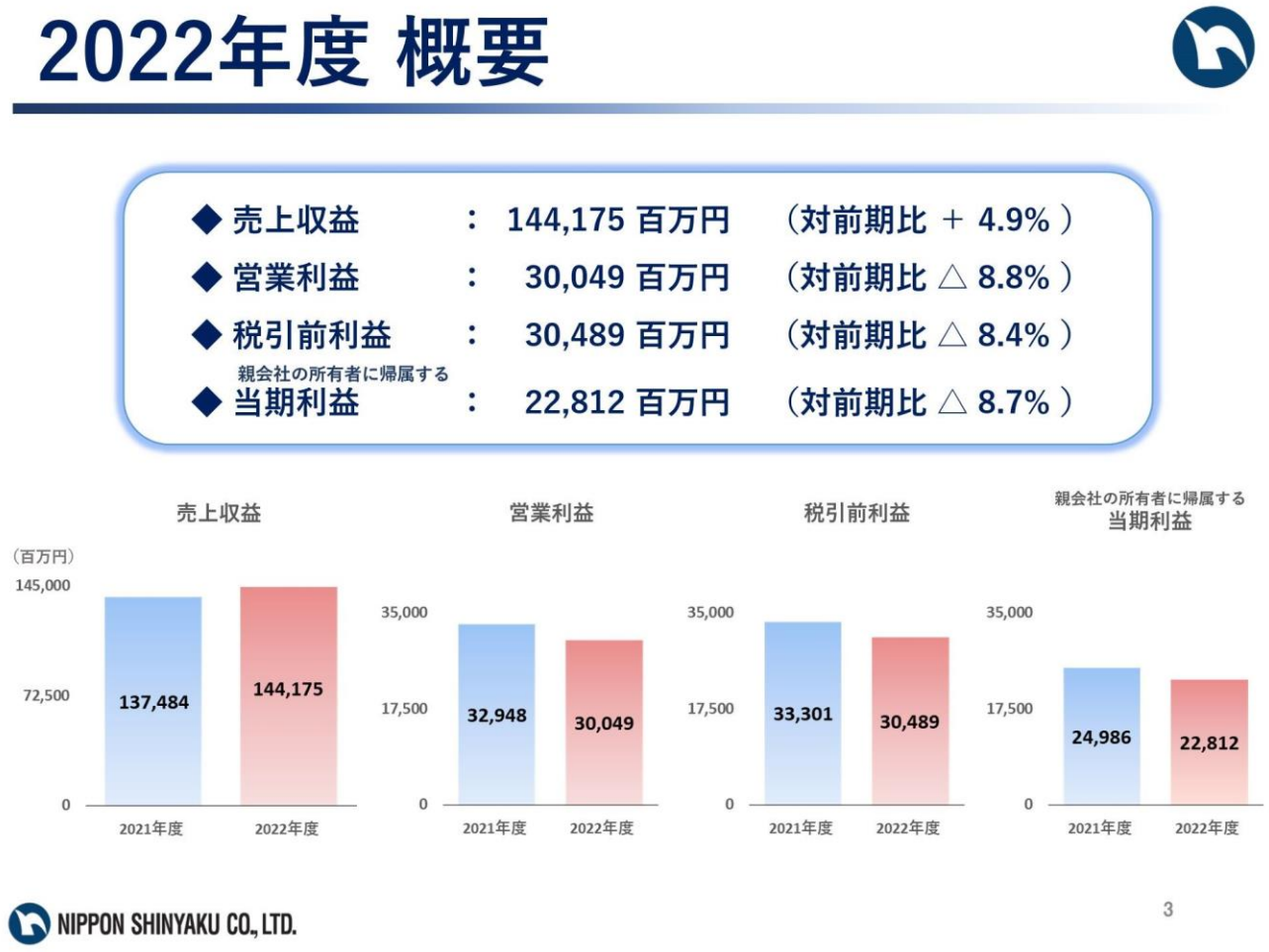
健康未来、創ります

日本新薬

## 登壇

**中井**：日本新薬社長の中井亨でございます。本日は、当社の 2022 年度決算説明会にご参加いただきまして、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、2022 年度の業績と 2023 年度通期業績見通しを、また、研究開発品目の進捗状況につきましては、高垣から説明させていただきます。




2022 年度の業績の概要ですが、連結売上収益 1,441 億 7 千 5 百万円、営業利益 300 億 4 千 9 百万円、税引前利益 304 億 8 千 9 百万円、親会社の所有者に帰属する当期利益 228 億 1 千 2 百万円となりました。

# 医薬品売上収益 の 内訳

| （百万円） | 2021年度 実績 | 2021年度 売上比 | 2022年度 実績 | 2022年度 売上比 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 医薬品 | 78,508 | 65.1% | 81,753 | 67.0% | +3,245 | +4.1% |
| 工業所有権等収益 | 33,207 | 27.5% | 30,714 | 25.2% | △ 2,493 | △ 7.5% |
| 共同販促収入 | 8,934 | 7.4% | 9,520 | 7.8% | +585 | +6.6% |
| 医薬品合計 | 120,650 | 100.0% | 121,988 | 100.0% | +1,337 | +1.1% |

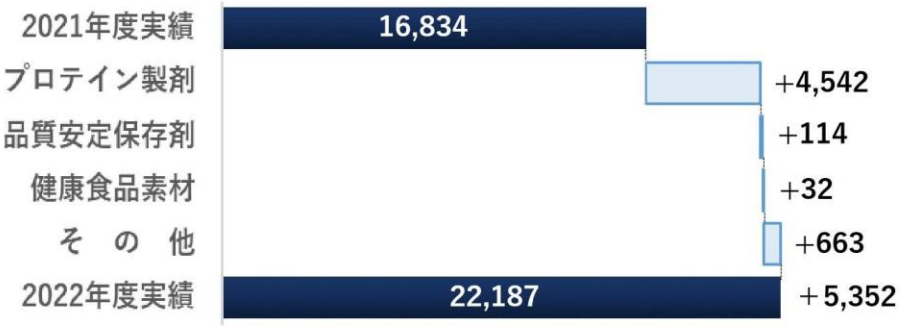
薬価改定の影響、優先審査バウチャーの売却一時金収入の反動があったものの、
「ウプトラビ」、「ビルテプソ」等の医薬品売上の伸長、
「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、
医薬品売上収益は1.1%の増収となりました。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

4

医薬品事業ですが、薬価改定の影響や、優先審査バウチャーの売却一時金収入の反動があったものの、肺動脈性肺高血圧症・慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤「ウプトラビ」、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ」、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し、医薬品事業の連結売上収益は、1,219 億 8 千 8 百万円と、対前期比 1.1％の増収となりました。

# 機能食品売上収益 の 内訳




| （百万円） | 2021年度 実績 | 2021年度 売上比 | 2022年度 実績 | 2022年度 売上比 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| プロテイン製剤 | 10,841 | 64.4% | 15,383 | 69.3% | +4,542 | +41.9% |
| 品質安定保存剤 | 2,790 | 16.6% | 2,905 | 13.1% | +114 | +4.1% |
| 健康食品素材 | 1,085 | 6.4% | 1,118 | 5.0% | +32 | +3.0% |
| そ の 他 | 2,116 | 12.6% | 2,779 | 12.6% | +663 | +31.3% |
| 機能食品合計 | 16,834 | 100.0% | 22,187 | 100.0% | +5,352 | +31.8% |

新型コロナウイルス感染症に伴う影響の緩和による需要の回復や、原材料価格上昇分の販売価格への転嫁によりプロテイン製剤等の売上が増加し、機能食品売上収益は31.8%の増収となりました。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

5

次に機能食品事業ですが、新型コロナウイルス感染症に伴う影響の緩和による需要の回復や、原材料価格上昇分の販売価格への転嫁によりプロテイン製剤などの売上が増加し、機能食品事業の連結売上収益は、221 億 8 千 7 百万円と、対前期比 31.8％の増収となりました。

# 営業利益

| （百万円） | 2021年度 | | 2022年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 実績 | 売上比 | | |
| 売上収益 | 137,484 | 100.0% | 144,175 | 100.0% | +6,690 | +4.9% |
| （医薬品） | (120,650) | (87.8%) | (121,988) | (84.6%) | (+1,337) | (+1.1%) |
| （機能食品） | (16,834) | (12.2%) | (22,187) | (15.4%) | (+5,352) | (+31.8%) |
| 売上原価 | 50,191 | 36.5% | 55,980 | 38.8% | +5,789 | +11.5% |
| 販売費及び一般管理費 | 32,173 | 23.4% | 34,812 | 24.1% | +2,638 | +8.2% |
| 研究開発費 | 22,863 | 16.6% | 24,135 | 16.7% | +1,271 | +5.6% |
| その他の収益 | 1,573 | 1.1% | 1,908 | 1.3% | +335 | +21.3% |
| その他の費用 | 882 | 0.6% | 1,106 | 0.9% | +224 | +25.4% |
| 営業利益 | 32,948 | 24.0% | 30,049 | 20.8% | △ 2,898 | △ 8.8% |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

6

次に営業費用ですが、売上原価率は、優先審査バウチャーの売却一時金収入の反動などにより、前期と比べ 2.3 ポイント悪化し、38.8％となりました。

販売費および一般管理費は、「ウプトラビ」の国内売上増加に伴う販促委託料や、米国販売費用の増加により、348 億 1 千 2 百万円と、対前期比 8.2％の増加となりました。

研究開発費は、臨床試験の進展に伴う核酸医薬品の治験薬製造費用の増加などにより、241 億 3 千 5 百万円と、対前期比 5.6％の増加となりました。

結果として、営業利益は 300 億 4 千 9 百万円と、対前期比 8.8％の減益となりました。

# 親会社の所有者に帰属する当期利益

| （百万円） | 2021年度<br>実績 | 2022年度<br>実績 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 営業利益 | 32,948 | 30,049 | △ 2,898 | △ 8.8% |
| 金融収益 | 472 | 575 | +102 | +21.7% |
| 金融費用 | 119 | 136 | +17 | +14.3% |
| 税引前利益 | 33,301 | 30,489 | △ 2,812 | △ 8.4% |
| 法人所得税費用等 | 8,315 | 7,676 | △ 639 | △ 7.7% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 24,986 | 22,812 | △ 2,173 | △ 8.7% |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

7

税引前利益は 304 億 8 千 9 百万円で、対前期比 8.4％の減益、親会社の所有者に帰属する当期利益は 228 億 1 千 2 百万円で、対前期比 8.7％の減益となりました。

# 2023年度 連結業績予想

| （百万円） | 2022年度<br>実績 | 2023年度<br>予想 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 売上収益 | 144,175 | 145,000 | +825 | +0.6% |
| 営業利益 | 30,049 | 32,000 | +1,951 | +6.5% |
| 税引前利益 | 30,489 | 32,500 | +2,011 | +6.6% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 22,812 | 25,000 | +2,187 | +9.6% |

**売上収益、営業利益、税引前利益、当期利益ともに前期に比べ、増収・増益を見込んでいます。**



続きまして、2023 年度の通期業績見通しについて説明いたします。

連結売上収益 1,450 億円、連結利益は、営業利益 320 億円、税引前利益 325 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益 250 億円と増収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） | 2022年度 | | 2023年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | |
| 医薬品 | 81,753 | 67.0% | 79,200 | 64.2% | △ 2,553 | △ 3.1% |
| 工業所有権等収益 | 30,714 | 25.2% | 35,000 | 28.3% | +4,286 | +14.0% |
| 共同販促収入 | 9,520 | 7.8% | 9,300 | 7.5% | △ 220 | △ 2.3% |
| 医薬品合計 | 121,988 | 100.0% | 123,500 | 100.0% | +1,512 | +1.2% |

**薬価改定や後発品の影響があるものの、**
**「ビルテプソ」、「ウプトラビ」などの伸長に加え、**
**「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長により、**
**増収を見込んでいます。**

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



医薬品事業においては、売上収益 1,235 億円で、前期と比べ、1.2%の増収を見込んでおります。

薬価改定や後発品の影響があるものの、「ビルテプソ」、「ウプトラビ」などの伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長により、増収を見込んでおります。

# 機能食品売上収益予想 の 内訳

| （百万円） | 2022年度 | | 2023年度 | | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | |
| プロテイン製剤 | 15,383 | 69.3% | 14,200 | 66.0% | △ 1,183 | △ 7.7% |
| 品質安定保存剤 | 2,905 | 13.1% | 3,000 | 14.0% | +95 | +3.3% |
| サプリメント | 1,428 | 6.4% | 1,800 | 8.4% | +372 | +26.0% |
| 健康食品素材 | 1,118 | 5.0% | 1,200 | 5.6% | +82 | +7.3% |
| その他 | 1,351 | 6.1% | 1,300 | 6.0% | △ 51 | △ 3.8% |
| 機能食品合計 | 22,187 | 100.0% | 21,500 | 100.0% | △ 687 | △ 3.1% |

**新製品開発・投入に一層注力し、重点品目への取り組みを強化するものの、一部製品の販売価格低下の影響もあり、減収を見込んでいます。**



機能食品事業は、一部製品の販売価格低下の影響により、売上収益 215 億円で、前期と比べ、3.1％の減収を見込んでおります。

# 予想損益計算書（連結）

| （百万円） | 2022年度 実績 | 2022年度 売上比 | 2023年度 予想 | 2023年度 売上比 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 売上収益 | 144,175 | 100.0% | 145,000 | 100.0% | +825 | +0.6% |
| （医薬品） | (121,988) | (84.6%) | (123,500) | (85.2%) | (+1,512) | (+1.2%) |
| （機能食品） | (22,187) | (15.4%) | (21,500) | (14.8%) | (△ 687) | (△ 3.1%) |
| 売上原価 | 55,980 | 38.8% | 50,000 | 34.5% | △ 5,980 | △ 10.7% |
| 販売費及び一般管理費 | 34,812 | 24.1% | 35,000 | 24.1% | +188 | +0.5% |
| 研究開発費 | 24,135 | 16.7% | 28,000 | 19.3% | +3,865 | +16.0% |
| その他の収益 | 1,908 | 1.3% | 400 | 0.3% | △ 1,508 | △ 79.0% |
| その他の費用 | 1,106 | 0.9% | 400 | 0.3% | △ 706 | △ 63.8% |
| 営業利益 | 30,049 | 20.8% | 32,000 | 22.1% | +1,951 | +6.5% |
| 金融収益 | 575 | 0.4% | 500 | 0.3% | △ 75 | △ 13.1% |
| 金融費用 | 136 | 0.1% | - | - | △ 136 | - |
| 税引前利益 | 30,489 | 21.1% | 32,500 | 22.4% | +2,011 | +6.6% |
| 法人所得税費用等 | 7,676 | 5.3% | 7,500 | 5.2% | △ 176 | △ 2.3% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 22,812 | 15.8% | 25,000 | 17.2% | +2,188 | +9.6% |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



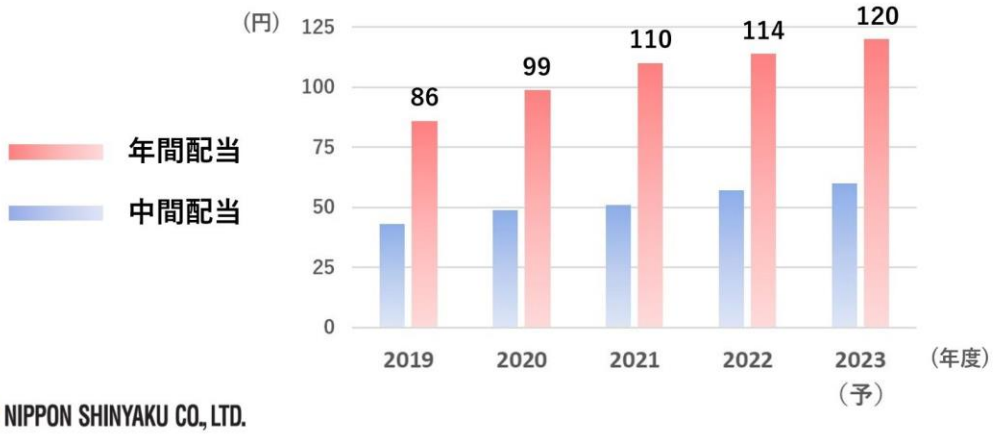
次に営業費用ですが、売上原価率は 34.5％と、前期と比べ、4.3 ポイントの改善を見込んでおります。

販売費および一般管理費は、350 億円、研究開発費は、280 億円を見込んでおります。

その結果として、営業利益 320 億円、税引前利益 325 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益 250 億円と、前期と比べ増益を見込んでおります。

# 配当予想

| | | 2022年度 | 2023年度 |
|---|---|---|---|
| 普通株式1株当たり配当金 | 中間配当金 | 57 円 | 60 円 |
| | 年間配当金 | 114 円 | 120 円 |
| 基本的1株当たり当期利益 | | 338.70 円 | 371.18 円 |
| 配当性向（連結） | | 33.7 % | 32.3 % |




NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



当期の配当金につきましては中間配当金１株当たり 60 円、期末配当金１株当たり 60 円の、年間 120 円を予定しております。

# 第六次5ヵ年中期経営計画目標との差異

| （百万円） | 2023年度<br>中計目標 | 2023年度<br>予想 | 差異 | 増減率 |
|---|---|---|---|---|
| 売上収益 | 150,000 | 145,000 | △ 5,000 | △ 3.3% |
| 営業利益 | 40,000 | 32,000 | △ 8,000 | △ 20.0% |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | 30,000 | 25,000 | △ 5,000 | △ 16.7% |

**第六次5ヵ年中期経営計画目標 主な未達理由：**

**新型コロナウイルス感染症の影響**
・ 米国ビルテプソの立ち上がりの遅れ

**中間年の薬価改定の影響**
・ 国内製品売上の減少

**現在開発中の核酸医薬品群や細胞治療薬に加え、遺伝子治療などの新規モダリティや、DMD領域以外のパイプライン品目の開発を進めることで、長期的な成長を実現します。**

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

13

最後に、2023 年度は、当社の第六次 5 ヵ年中期経営計画の最終年度となります。

新型コロナウイルス感染症の影響により米国ビルテプソの立ち上がりが遅れたことや、中間年の薬価改定制度導入の影響により国内製品売上が減少したことなどから、中計目標については未達となる見込みです。

一方で、現在開発中の核酸医薬品群や細胞治療薬に加え、遺伝子治療などの新規モダリティや、DMD 領域以外のパイプライン品目の開発を進めることで、長期的な成長は可能と考えます。

改めて、当社の成長に向けての考え方について説明させていただきます。

# DMD治療における3つの治療法の位置づけ

| 治療 | 長所 | 短所 |
|---|---|---|
| 核酸医薬<br>（Exon skipping） | ・複数回投与が可能<br>・長期の安全性･薬効のデータあり | ・対象患者が絞られる<br>・治療効果は骨格筋のみ |
| 細胞治療<br>（エクソソーム） | ・骨格筋だけで無く､心臓にも作用する可能性あり<br>・歩行不能の患者さんの上腕機能を改善出来る可能性あり | ・歩行可能者に効果があるかどうか不明<br>・細胞の規格･流通の難易度が高い |
| 遺伝子治療<br>（マイクロジストロフィン） | ・骨格筋だけでなく心臓にも有効な可能性あり<br>・エクソンスキッピング対象以外を対象患者に出来る可能性あり | ・高用量全身投与による免疫毒性<br>・現時点で複数回投与は困難<br>・短鎖化ジストロフィンで運動機能が十分に改善するか不明 |

・年齢が低い時期：エクソンスキッピングにて治療し筋肉量を維持
・年齢が上がり筋肉量が減少した時期：遺伝子治療へ切り替え
・遺伝子治療の効果が減弱した時期：再びエクソンスキッピング治療に戻る or 細胞治療へ切り替え

**患者さんの遺伝的背景や状況､時期に応じて、最適な治療の組み合わせがあります。**

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

14

最初に、DMD 領域について説明すると、現在当社が取り組んでいる 3 つのモダリティの DMD 治療における位置づけですが、核酸医薬、細胞治療、遺伝子治療にはそれぞれ長所と短所があり、

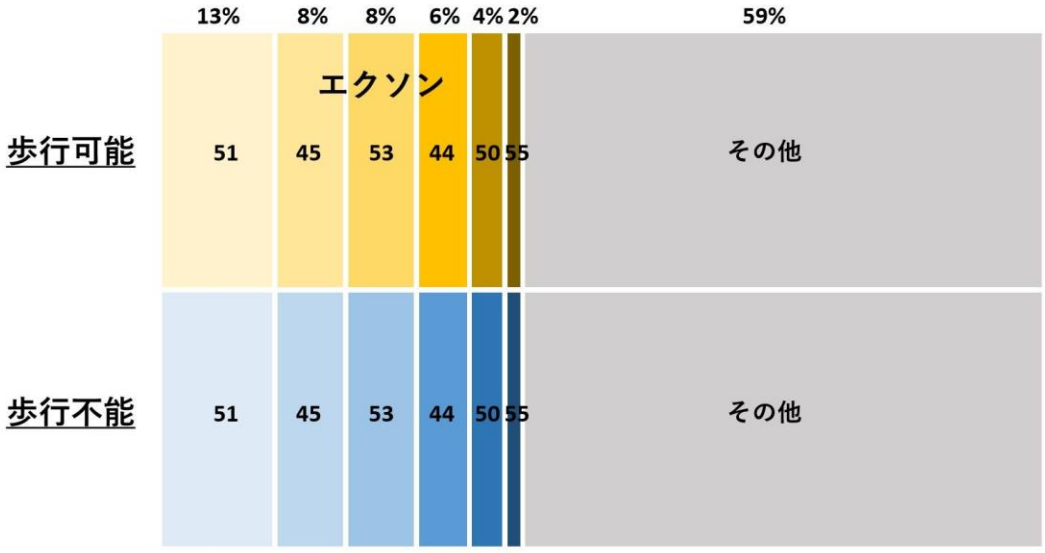
その組み合わせにより最適な治療の実現が可能であると当社は考えます。

年齢が低い時期は、筋肉の幹細胞が豊富で筋肉の再生が盛んにおこなわれ、DMD 遺伝子の発現が多いため、エクソンスキッピング治療対象の患者さんにはエクソンスキッピング治療により全長に近いジストロフィンタンパクを発現させ、筋肉が壊れるのを防ぎ、筋肉の量を維持することが望ましいと考えます。

その後､年齢が上がり､幹細胞の数が減少し、筋肉の再生が減じて DMD 遺伝子の発現量が少なくなった時期には､遺伝子治療により外部からマイクロジストロフィンを導入する治療が有効と考えます。

一方で、遺伝子治療は理論的に長期間の効果持続は難しいため､効果が減弱したところでエクソンスキッピング治療に戻るか､あるいは､歩行不能まで症状が進んでいれば､細胞治療を選択することになると考えます。

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合



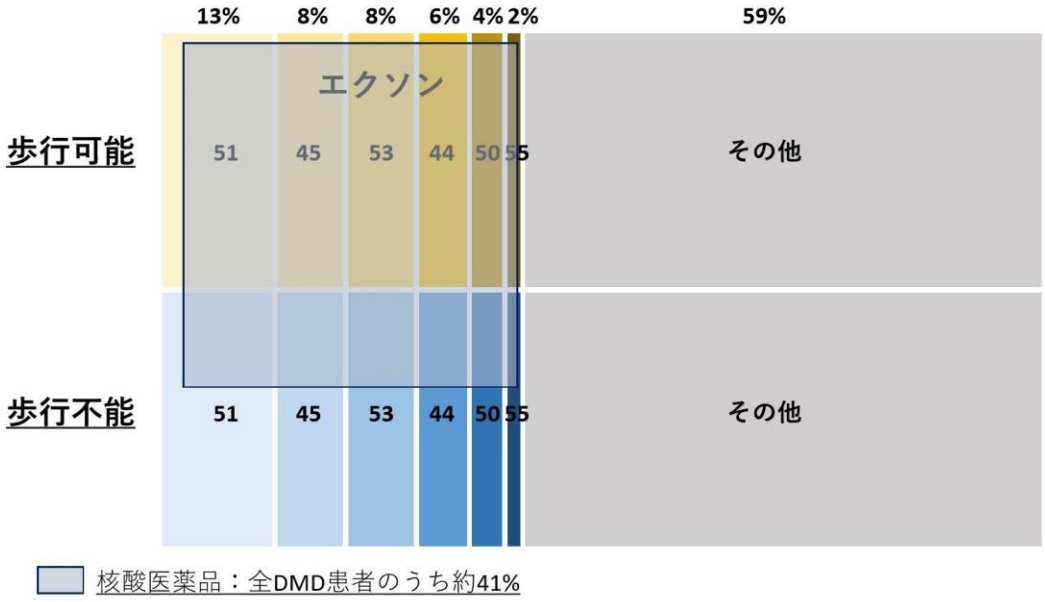

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



こちらは、各エクソンスキッピング治療の対象となる DMD 患者の割合となります。

こちらの図を用いて、当社が取り組みを進めている 3 つの DMD 治療の対象患者について説明いたします。

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合



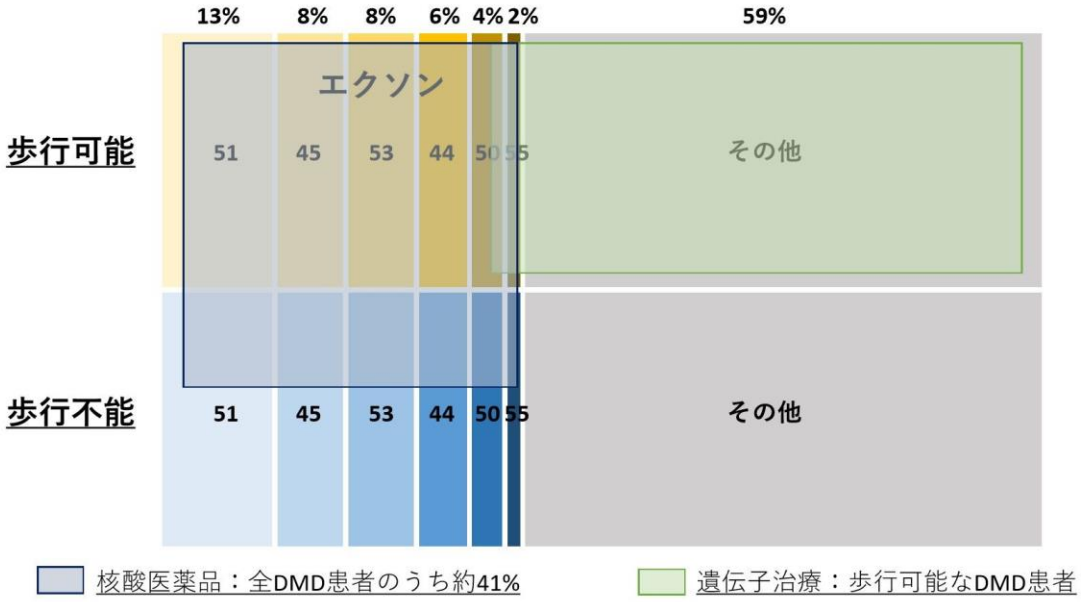

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.



核酸医薬品は、開発中の品目も含めると、全 DMD 患者の約 41%が治療対象となります。

現在、核酸医薬品は、主に歩行可能な患者さんが治療対象となります。

# 全DMD患者に対する
# エクソンスキッピング治療対象患者の割合

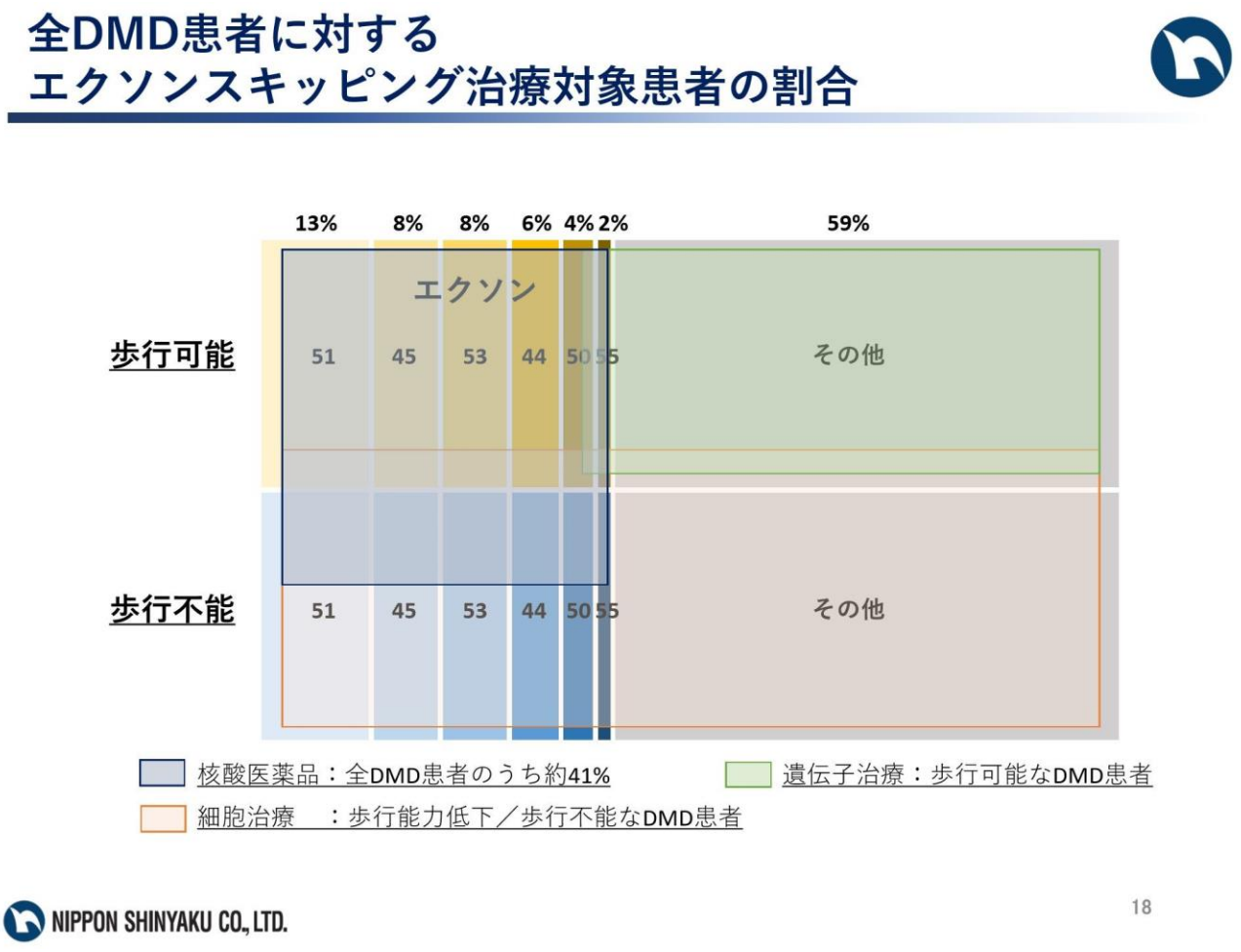



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

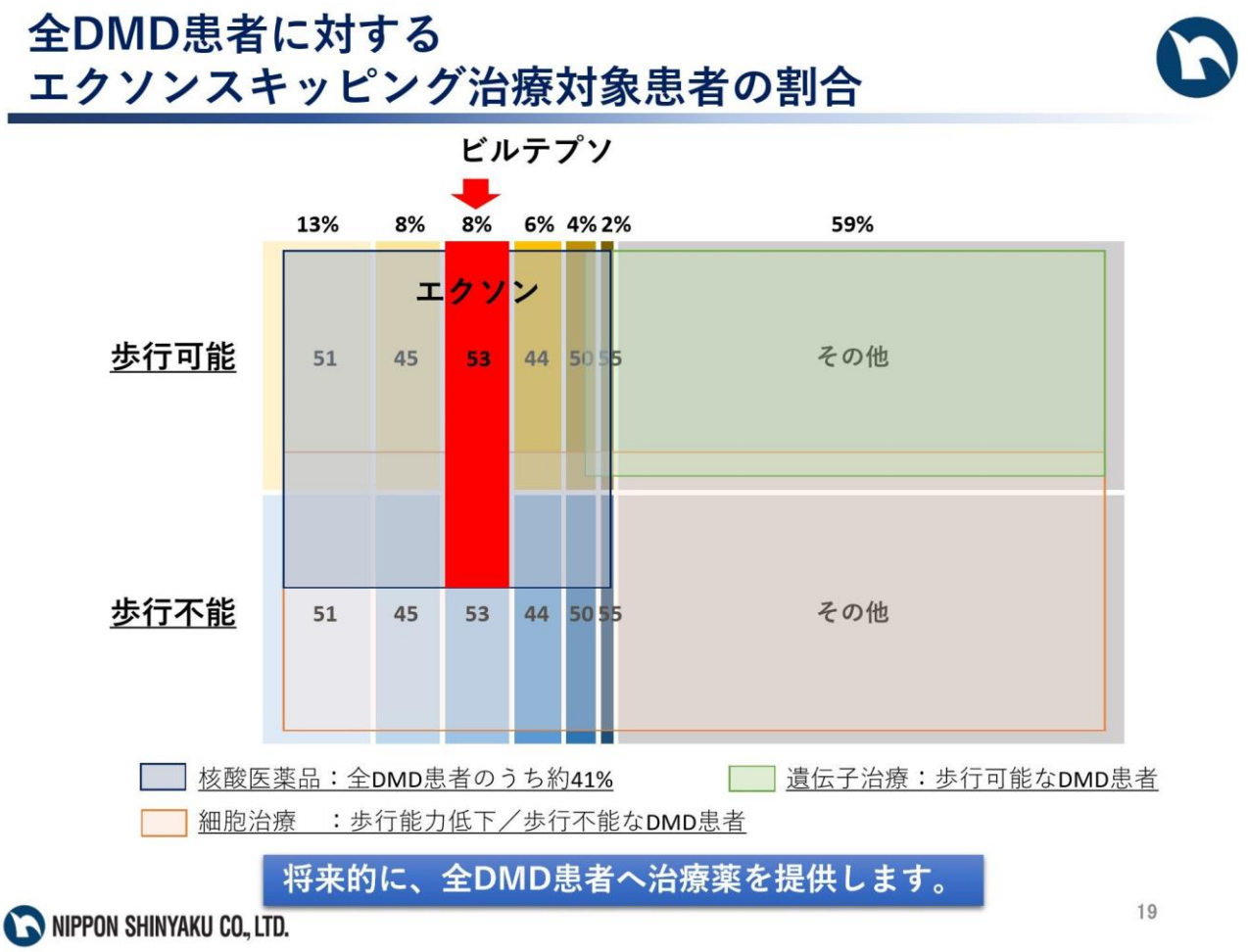


遺伝子治療は、現時点では、エクソンスキッピング治療の対象とならない全 DMD 患者の約 59%が治療対象となると考えます。

現在、遺伝子治療は歩行可能な患者さんへの投与に対しての試験が先行しております。

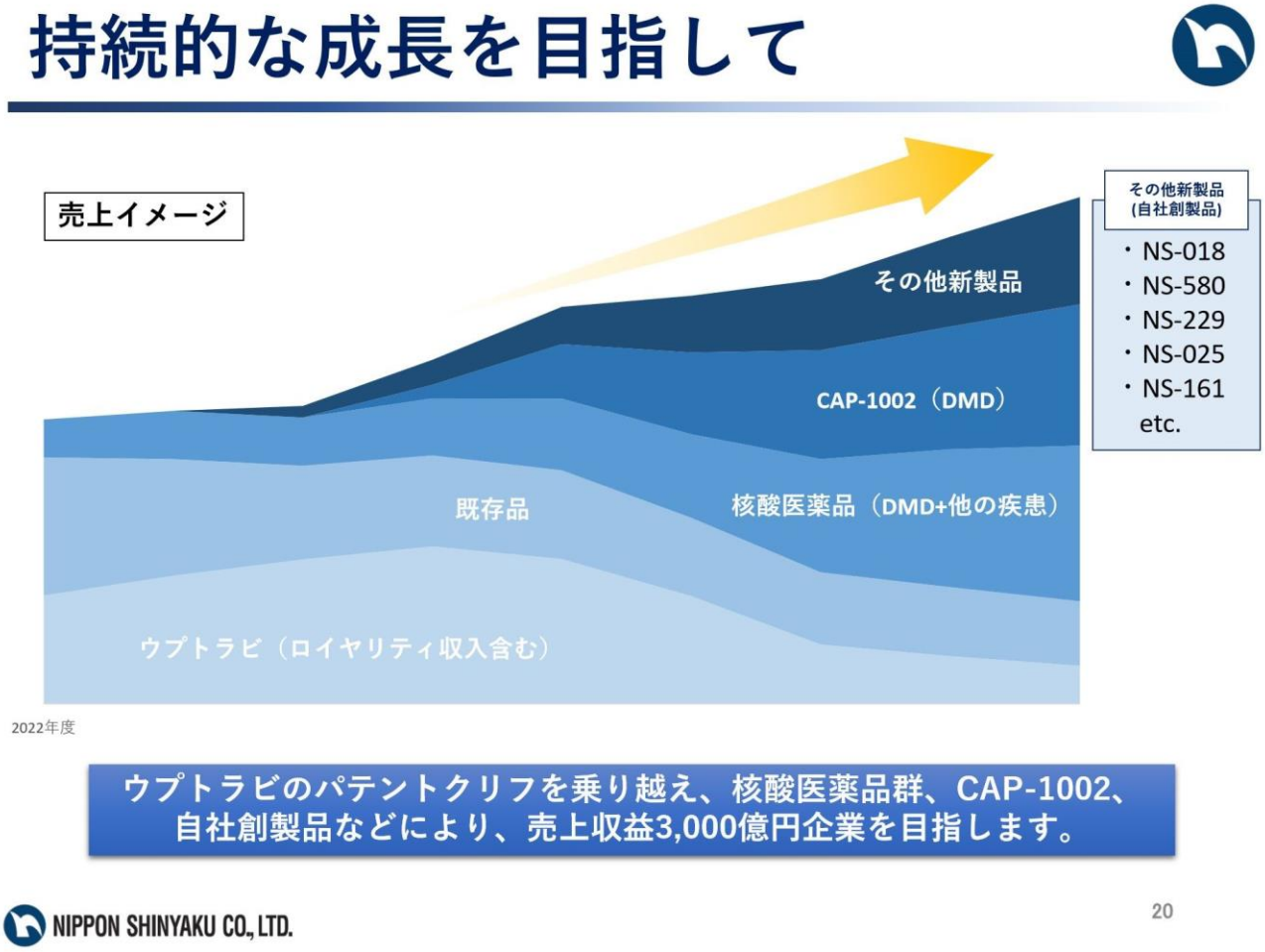



細胞治療は、全 DMD 患者のうち歩行能力の低下した患者さん、または歩行不能な患者さんが治療対象となります。




現在当社が発売中のエクソン 53 スキッピング薬のビルテプソは、全 DMD 患者の約 8%を対象としております。

今後は、ビルテプソに加え、後続の核酸医薬品や細胞治療、遺伝子治療などの開発を進め、将来的には全ての DMD 患者に対して治療薬を提供したいと考えます。




当社の成長をけん引したウプトラビについては、米国においては 2026 年 10 月に、それ以外の地域においては 2027 年 4 月に特許切れを迎える予定です。

パテントクフを乗り越えるために、ビルテプソに続く核酸医薬品、CAP-1002 に加え、自社創製品である NS-018、NS-580 などの上市により、次年度開示予定の第七次中期経営計画では、成長するシナリオを描いていきたいと考えます。

長期的には、グローバル展開を予定している NS-229、NS-161、NS-025 などの自社創製品の上市により、持続的な成長を目指してまいります。

以上、2022 年度の業績と 2023 年度通期業績見通しについての説明を終わらせていただきます。

# 研究開発の進捗状況（国内）

| 開発品目 | 申請区分 | 適応症等 | PI | PI／II準備中 | PI／II | PII準備中 | PII | PIII | 発売 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| NS-065/NCNP-01<br>（ﾋﾞﾙﾄﾗﾙｾﾝ）<br>（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | PIII<br>実施中 | |
| ZX008<br>（ﾌｪﾝﾌﾙﾗﾐﾝ塩酸塩）<br>（導入） | 新効能 | レノックス・ガストー症候群 | | | | | | | |
| GA101<br>（ｵﾋﾞﾇｽﾞﾏﾌﾞ）<br>（導入） | 新効能 | ループス腎炎 | | | | | | | |
| | 新効能 | 小児特発性ネフローゼ症候群 | | | | | | | |
| NS-304<br>（ｾﾚｷｼﾊﾞｸﾞ）<br>（自社） | 新効能 | 閉塞性動脈硬化症 | | | | | | | |
| | 新用量 | 小児肺動脈性肺高血圧症 | | | | | | | |
| NS-580<br>（自社） | 新成分 | 子宮内膜症 | | | | | | | |

■：2022年度第3四半期決算時からの変更箇所

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

22

**高垣**：ひき続きまして、研究開発品目の進捗状況について説明いたします。

まずは国内の開発状況について説明いたします。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-065/NCNP-01、ビルテプソ」につきましては、2020 年 5 月より販売を開始し、現在グローバルフェーズ 3 試験を実施中です。

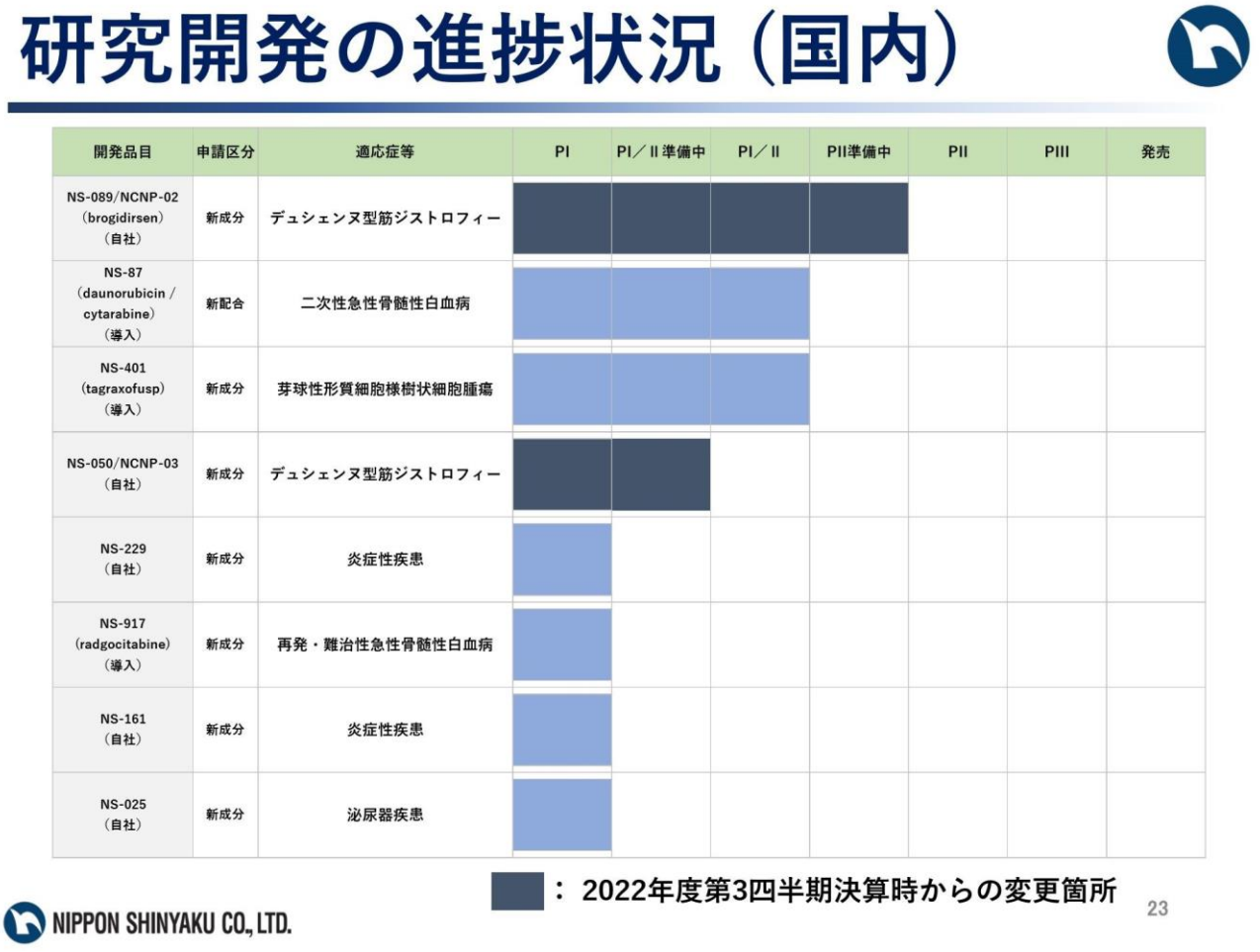
難治てんかん治療剤「ZX008」につきましては、レノックス・ガストー症候群を適応として、ユーシービー社がフェーズ 3 試験を実施中です。

「GA101」につきましては、中外製薬株式会社と共同で、ループス腎炎を対象としたフェーズ 3 試験を実施中です。また、2023 年 3 月より小児特発性ネフローゼ症候群を対象としたフェーズ 3 試験を開始しました。

「NS-304」につきましては、閉塞性動脈硬化症を適応として、日本新薬が単独で、フェーズ 2 b 試験を実施中です。

また、小児の肺動脈性肺高血圧症を対象としたフェーズ２試験を、ヤンセンファーマ株式会社と共同で実施中です。

子宮内膜症治療剤「NS-580」につきましては、フェーズ２ｂ試験を実施中です。




エクソン 44 をスキップさせる、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-089／NCNP-02」につきましては、グローバルフェーズ２試験を準備中です。

二次性急性骨髄性白血病治療剤「NS-87」につきましてはフェーズ１/２試験を実施中です。

芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤「NS-401」につきましては、フェーズ１/２試験を実施中です。

エクソン 50 をスキップさせる、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-050／NCNP-03」につきましては、グローバルフェーズ１/２試験を準備中です。

JAK1 阻害剤「NS-229」は、炎症性疾患を対象としてフェーズ１試験を実施中です。

再発・難治性急性骨髄性白血病治療剤「NS-917」につきましては、フェーズ１試験を実施中です。

炎症性疾患を適応として開発中の「NS-161」、泌尿器疾患を適応として開発中の「NS-025」につきましては、フェーズ１試験を実施中です。

## 研究開発の進捗状況（海外）

| 開発品目 | 申請区分 | 適応症等 | PI | PI／II準備中 | PII準備中 | PII | PIII | 発売 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| NS-065/NCNP-01（ﾋﾞﾙﾄﾗﾙｾﾝ）（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | PIII 実施中 | |
| CAP-1002（提携） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |
| NS-018（ilginatinib）（自社） | 新成分 | 骨髄線維症 | | | | | | |
| NS-089/NCNP-02（brogidirsen）（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |
| NS-050/NCNP-03（自社） | 新成分 | デュシェンヌ型筋ジストロフィー | | | | | | |

■：2022年度第3四半期決算時からの変更箇所

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

24

続きまして、海外の開発状況について説明いたします。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「NS-065/NCNP-01、ビルテプソ」につきましては、2020 年 8 月に米国で販売を開始し、現在グローバルフェーズ 3 試験を実施中です。

欧州では、2020 年 6 月にオーファンドラッグ指定を受けました。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「CAP-1002」につきましては、カプリコール・セラピューティクス社と、2022 年 1 月に米国、2023 年 2 月に国内における販売提携契約を締結しました。

現在、カプリコール・セラピューティクス社が米国でフェーズ 3 試験を実施中です。

骨髄線維症治療剤「NS-018」につきましては、グローバルフェーズ 2 試験を実施中です。

繰り返しになりますが、「NS-089／NCNP-02」および「NS-050／NCNP-03」につきましては、現在グローバル試験を準備中です。

以上、研究開発の進捗状況の説明を、終わらせていただきます。

# 2022 年度 決算説明会 Q＆A（要約）

2023 年 5 月 15 日開催

| NO | 質問内容 | 回答 |
|---|---|---|
| 1 | ビルテプソの米国売上の前提ついて、前期は Q3 と Q4 で凸凹があった。今期はそこそこの成長を見込んでいるようだが、足元の患者のエントリー状況を含めて、現在の状況について教えてほしい。また、為替の前提についても教えてほしい。 | 今年度の為替の前提は 1 ドル 130 円である。4Q の売上実績は若干の増加にとどまったが、発注のタイミング、メディケイドへのリベート支払いといった一時的な要因から売上は凸凹していてわかりづらくなっていると思う。卸や薬局から医療機関へ納入されている数量ベースである消化ベースは、QonQ で着実に伸びており、投与患者数も増えている。また、足元の状況については、4 月時点で投薬に至った患者数は想定よりも多かった。そういった患者さんが年度にわたって投与されると考えると順調な滑り出しであると考える。 |
| 2 | 遺伝子治療や細胞治療に注目しているドクターについても、ビルテプソの 4 年間のデータには納得しているという理解でよいか。 | 米国では、4 年間のデータをすでにプロモーションで活用しているが、現場からは非常に好評であると報告を受けている。米国での投薬患者数は 100 名を超えており、そのうち、競合からのスイッチもある。その点から、ジストロフィンの発現データや、4 年間の長期データなどをお示しすることで、説得力を高め、医療現場への浸透につながっていると認識している。 |
| 3 | 米国では、2022 年度中にクイックスタートプログラムを開始する予定であったのにも関わらず、開始が 2023 年 6 月に遅れるのはなぜか。 | サービス提供会社との契約交渉に時間がかかってしまった。現在、契約交渉は終了し、準備を進めている。 |
| 4 | 2026 年から 2027 年にかけてのウプトラビの特許切れにより、売上は減少するが、その他の製品の売上でパテントクリフをカバーできるということで良いか。 | ビルテプソに続く核酸医薬品や CAP-1002 など、新製品の上市や成長に加え、導入品などでパテントクリフをカバーし、引き続き成長していきたいと考えている。 |
| 5 | 売上のイメージ図では核酸医薬品の売上の伸びが少ないように感じるが、なぜか。ビルテプソに関してもまだ伸びる余地があると考えて | あくまでもイメージと考えていただきたい。今年度については、核酸医薬品のビルテプソは国内 48 億円、米国 135 億円という計画である。米国市場を考察すると、サレプタ |

| | | |
|---|---|---|
| | いたが、今後数年間の伸び方はどのように見ているのか。 | 社のエクソン 51 スキッピング薬は 500M ドルくらいであり、全 DMD 患者の 13%ととなる。エクソン 53 スキッピングは 8%なので、8/13 と考えれば、300M ドルくらいの市場であると推定される。自社ビルテプソとサレプタ社の競合品を合わせると約 180M ドルで 300M ドルの 6 割程度である。そのため、まだ成長の余地はあると考えている。 |
| 6 | 長期見通しを説明いただく中で、NS-229、NS-025、NS-161 についてはグローバル展開を目指しているということだったが、現時点での展開の方針を教えていただきたい。 | 基本的な当社のグローバル展開の考え方としては、難病希少疾患等のそれほど市場規模が大きくない疾患、すなわち専門施設に患者が集約され情報提供する施設数がそれほど多くない疾患については自社で展開していけるのではないかと考えている。適応疾患を開示していない品目もあるため、どの品目が自社展開を行うのかということは言えないが、難病希少疾患の品目については自社でグローバル展開をしていく。大きな臨床開発投資や販売投資が必要な品目については、他社の力も借りながら進めていくことを考えている。 |
| 7 | DMD における 3 つの治療法の位置づけについてであるが、会社の見解という理解で良いか。もしサレプタ社が先に遺伝子治療によって運動機能が改善するというデータを示した場合でも、3 つの治療法の位置づけは説明通りであると考えて良いのか。 | 先方の遺伝子治療の P3 試験結果がビルテプソの P3 試験結果よりも早く出た場合は、先方のデータが有効性や安全性についてのひとつのエビデンスになると考える。一方で、遺伝子治療の効果の継続期間には限度があり、いずれ効果がなくなると考えられる。そのため、一度遺伝子治療を受けられた患者さんは、他の治療法を探していくことになり、その場合には、核酸医薬や細胞治療を選択していくことになると考えている。加えて、3 つの治療法の位置づけについては、臨床の先生の 1 つの考え方であり、実際は遺伝子治療および核酸医薬の両方が承認され、臨床の現場で使われていくことで、どちらの治療法が最適なのかがわかっていくと考える。今のところ、当社として、このような治療法が適切ではないかと示させていただいている。 |
| 8 | FDA の Advisory Committee の資料を見ると、サレプタ社の遺伝子治療ではかなり短縮されたジストロフィンが設計されている。ただのバネのようなものだと思っていたが、nNOS と α-syntrophin は spectrin-like repeats の R16、R17 で結合し、局所的な血流を変える | 欠損のタイプによって変わるが、エクソンスキッピングによって作られたタンパクは欠損部分が少ないので、効果は維持されると考えている。マイクロジストロフィンでは C 末端の膜結合領域が省略されていること、ジストロフィンが大きなタンパクで様々なタンパク等と相互作用があることは知られているが、その相互作用の一部しか回復できな |

| | | |
|---|---|---|
| | 機能があるということがわかってきているようであるが、サレプタ社の遺伝子治療にはこの部分が含まれていない。ビルテプソでは、こういった機能が保存されているという理解でよいか。この点を訴求することは医師に対して一定の説得力があると考えてよいか。 | いことが推察される。エクソンスキッピングによって作られる全長に近いタンパクの方がいいだろうというのは以前からの認識であり、世間一般でも言われていることである。このようなことをわかりやすい資材にして医療現場に対して説明していきたいと考えている。 |
| 9 | 今年度前半に NS-051 の臨床入りということだったかと思うが、何か遅れが生じているのか。 | NS-089 、NS-050 について、FDA との合意に少し時間がかかった。その話し合いの結果を反映させて NS-051 の臨床試験の申請を行う方針としたため、今年度中の計画としている。 |
| 10 | ClinicalTrials.gov では、NS-018 は来年の春に P2b 試験が終了予定となっているが、試験終了の目途は立っているのか。 | NS-018 については、予定通りに試験を進めるよう努力している。欧州を中心に、国ごとに当局との折衝を行っており、当局との折衝国を増やしていくということ、試験開始が承認された国においてサイト数を増やしていくことを行っていく。また、開発スピードを加速させるため、国際開発業務については 4 月から社長の直轄部門としている。皆さんが懸念されている臨床開発の遅さについては、社長も積極的に関与しながら開発スピードを速めていく。来月インベスティゲーターミーティングが開かれるが、そこへ社長も出席し、治験実施担当者とコミュニケーションをとることで、試験のスピードを加速させたいと考える。 |
| 11 | 中長期的な食品事業の考え方を教えてほしい。中計の売上目標は達成しているが、資本効率を考えた際に、食品事業は御社の基準に達しているのか。ウプトラビの特許切れなどがある中で、資本を医薬品事業にシフトするべき状況下で、食品事業についてどう考えているか教えてほしい。それに関連して、全社的に ROE の目標があるが、例えば ROIC などの指標は次期中計において開示する予定はあるか。 | 食品事業については、現状切り離すということは考えていない。資本効率以外に、食品事業と医薬品事業の間には、事業上のシナジーが存在すると考える。米国では DTC をはじめとして上手にコミュニケーションをとる会社が多い。最終消費者へのアピールが必要と感じており、その点については、食品事業から消費者マーケティング等学べる点があると考えている。そのようなシナジーも考慮して考えていきたい。次期中計で ROE 以外の ROIC をはじめとする様々な指標について開示していくかどうかについては、現在議論中であり、今しばらくお待ちいただきたい。 |