

2023年度 決算説明会

2024年5月14日
日本新薬株式会社

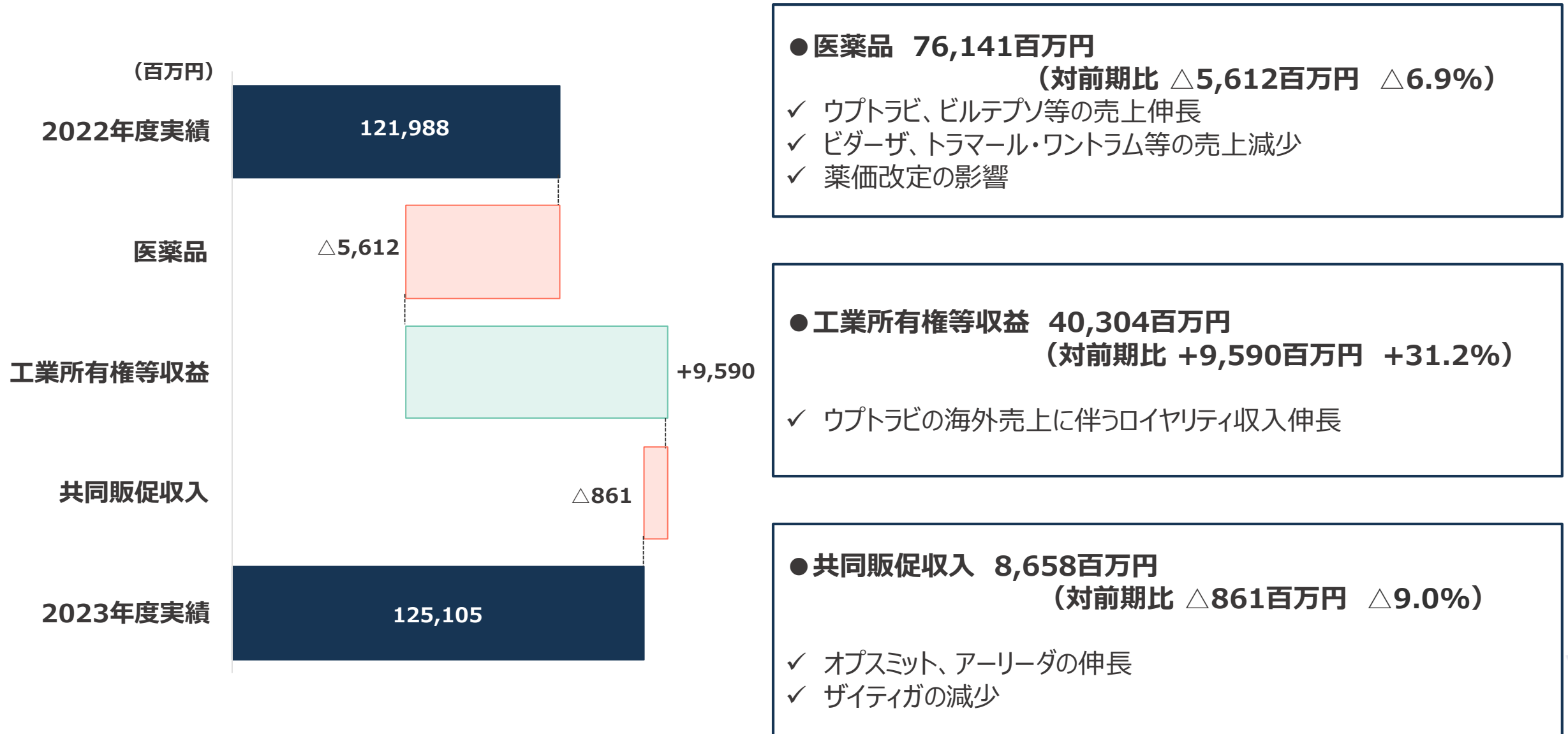
2023年度業績と 2024年度業績見通し

代表取締役社長 中井 亨

2023年度 概要

(百万円)	2022年度		2023年度		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	144,175	100.0%	148,255	100.0%	+4,080	+2.8%
（医薬品）	(121,988)	(84.6%)	(125,105)	(84.4%)	(+3,116)	(+2.6%)
（機能食品）	(22,187)	(15.4%)	(23,150)	(15.6%)	(+963)	(+4.3%)
売上原価	55,980	38.8%	50,234	33.9%	△5,746	△ 10.3%
販売費及び一般管理費	34,812	24.1%	34,959	23.6%	+146	+0.4%
研究開発費	24,135	16.7%	31,676	21.4%	+7,541	+31.2%
その他の収益	1,908	1.3%	3,163	2.1%	+1,254	+65.7%
（為替差益）	(1,193)	(0.8%)	(2,486)	(1.7%)	(+1,292)	(+108.4%)
その他の費用	1,106	0.8%	1,252	0.8%	+146	+13.2%
営業利益	30,049	20.8%	33,295	22.5%	+3,245	+10.8%
金融収益	575	0.4%	650	0.4%	+75	+13.1%
金融費用	136	0.1%	329	0.2%	+193	+142.4%
税引前利益	30,489	21.1%	33,616	22.7%	+3,127	+10.3%
法人所得税費用等	7,676	5.3%	7,765	5.2%	+88	+1.2%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	22,812	15.8%	25,851	17.4%	+3,038	+13.3%

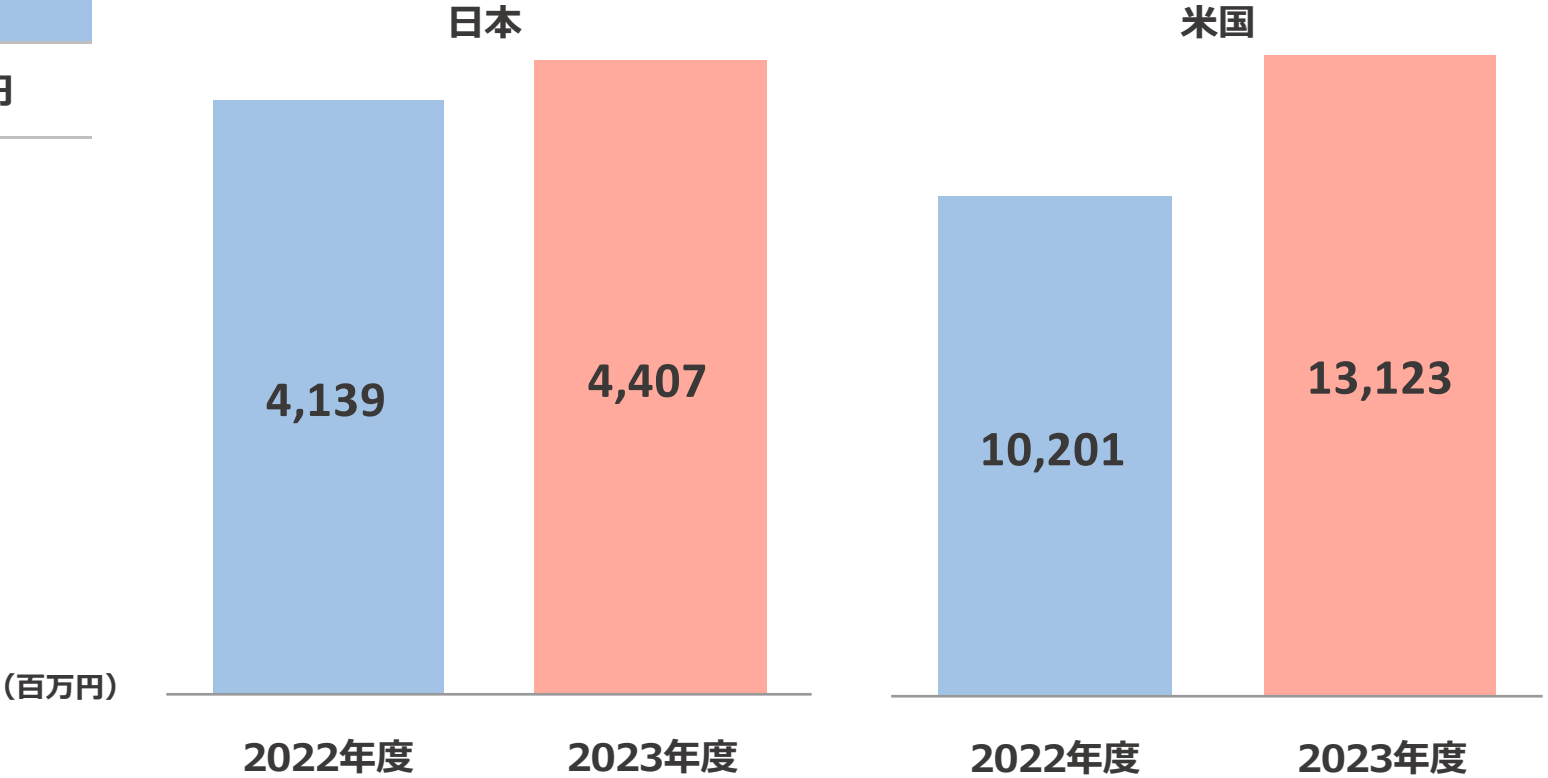
医薬品売上収益の内訳



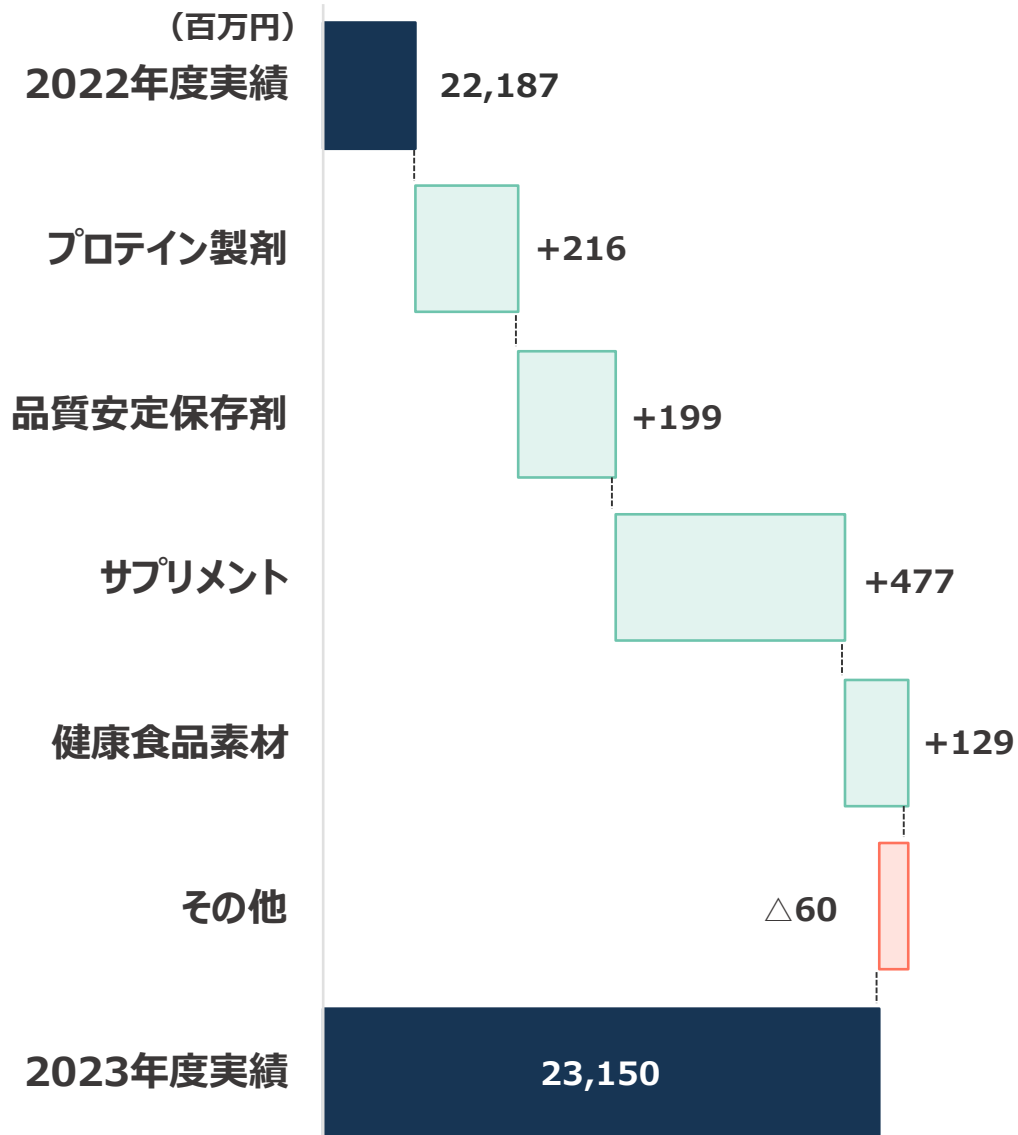
ビルテプソ の 売上

(百万円)		2022年度 実績	2023年度 実績	差異	増減率	
ビルテプソ	日本	4,139	4,407	+268	+6.5%	✓ 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3分の2以上
	米国	10,201	13,123	+2,922	+28.6%	✓ 投与患者及び投与希望患者数は増加中 ✓ 第Ⅱ相試験（Galactic53 trial）データをポスター発表
	計	14,341	17,530	+3,189	+22.2%	

為替	2022年度 実績	2023年度 実績
1USD	135.5円	144.6円



機能食品売上収益の内訳



●**プロテイン製剤** 15,600百万円
(対前期比 +216百万円 +1.4%)

- ✓ 新型コロナウイルス感染症に伴う影響の緩和によりプロテイン製剤が安定的に伸長
- ✓ 原材料価格上昇分の販売価格への転嫁

●**品質安定保存剤** 3,105百万円
(対前期比 +199百万円 +6.9%)

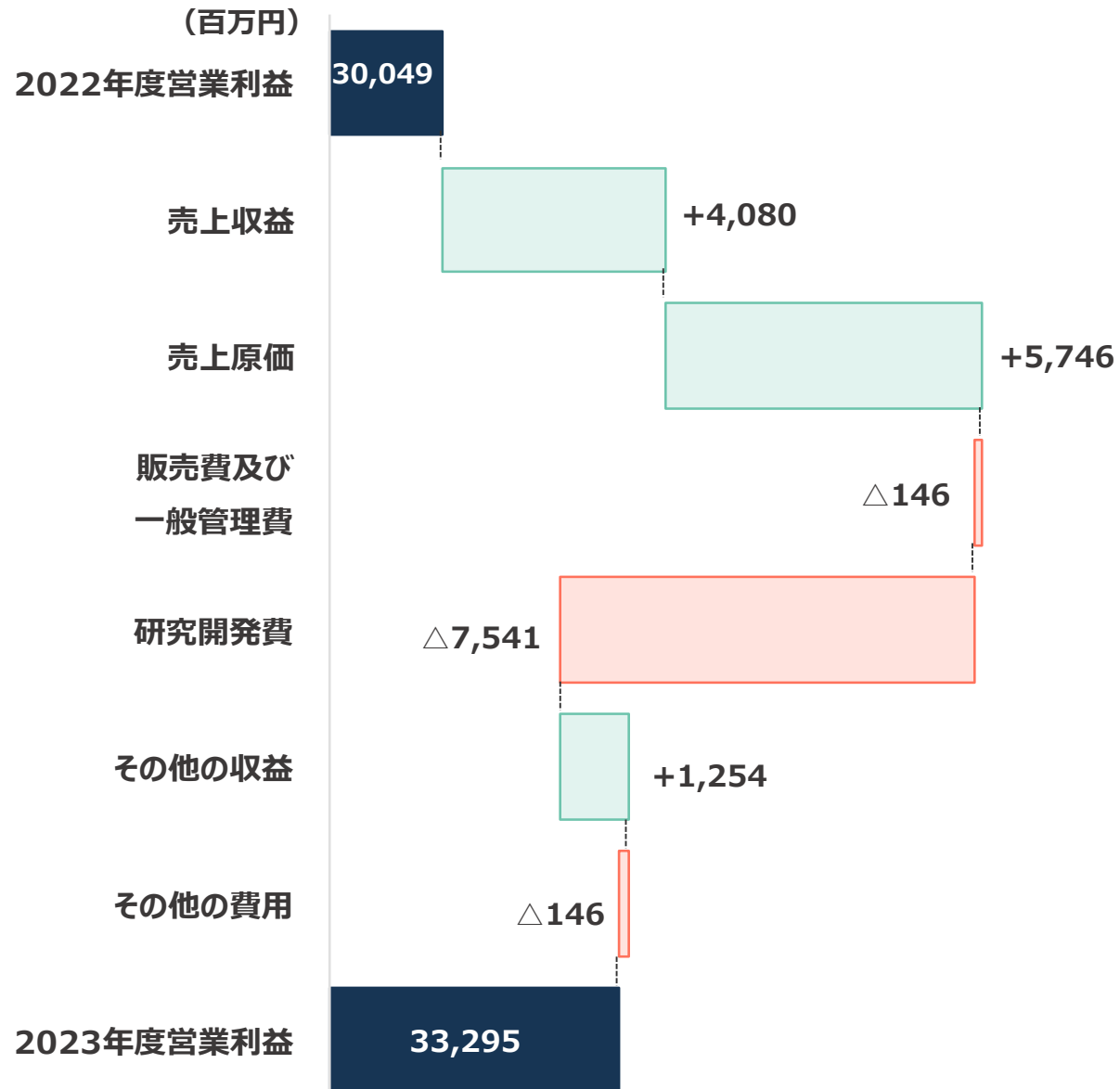
- ✓ ユーザーの新規採用や使用拡大に注力

●**サプリメント** 1,905百万円
(対前期比 +477百万円 +33.4%)

- ✓ 各地のスポーツイベント開催の増加等、市場変化により「WINZONEプロテイン」を中心に伸長

●**健康食品素材** 1,248百万円
(対前期比 +129百万円 +11.6%)

営業利益



●売上原価 50,234百万円
 (対前期比 △5,746百万円 △10.3%)
 原価率：4.9ポイント改善

- ✓ 薬価改定の影響により原価率が悪化
- ✓ 工業所有権等収益や医食構成比等の要因により前年同期と比較し原価率が改善

●販管費 34,959百万円
 (対前期比 +146百万円 +0.4%)

- ✓ 人件費の増加
- ✓ 販促活動委託料（トラマール・ワントラム）の減少

●研開費 31,676百万円
 (対前期比 +7,541百万円 +31.2%)

- ✓ 委託研究費（核酸医薬品等）の増加

●その他の収益 3,163百万円
 (対前期比 +1,254百万円 +65.8%)

- ✓ 為替差益の発生（+1,292百万円）

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
売上収益	148,255	100.0%	150,000	100.0%	+1,745	+1.2%
（医薬品）	(125,105)	(84.4%)	(128,500)	(85.7%)	(+3,395)	(+2.7%)
（機能食品）	(23,150)	(15.6%)	(21,500)	(14.3%)	(△ 1,650)	(△ 7.1%)
売上原価	50,234	33.9%	48,900	32.6%	△ 1,334	△ 2.7%
販売費及び一般管理費	34,959	23.6%	38,700	25.8%	+3,741	+10.7%
研究開発費	31,676	21.4%	31,500	21.0%	△ 176	△ 0.6%
その他の収益	3,163	2.1%	500	0.3%	△ 2,663	△ 84.2%
その他の費用	1,252	0.8%	400	0.3%	△ 852	△ 68.1%
営業利益	33,295	22.5%	31,000	20.7%	△ 2,295	△ 6.9%
金融収益	650	0.4%	600	0.4%	△ 50	△ 7.8%
金融費用	329	0.2%	100	0.1%	△ 229	△ 69.7%
税引前利益	33,616	22.7%	31,500	21.0%	△ 2,116	△ 6.3%
法人所得税費用等	7,765	5.2%	7,000	4.7%	△ 765	△ 9.9%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	25,851	17.4%	24,500	16.3%	△ 1,351	△ 5.2%
為替	2023年度 実績	2024年度 想定				
1USD	144.6円	140.0円				

医薬品売上収益予想 の 内訳

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
医薬品	76,141	60.9%	77,700	60.5%	+1,559	+2.0%
工業所有権等収益	40,304	32.2%	41,700	32.4%	+1,396	+3.5%
共同販促収入	8,658	6.9%	9,100	7.1%	+442	+5.1%
医薬品合計	125,105	100.0%	128,500	100.0%	+3,395	+2.7%

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」等の伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長等により、増収を見込んでいます。

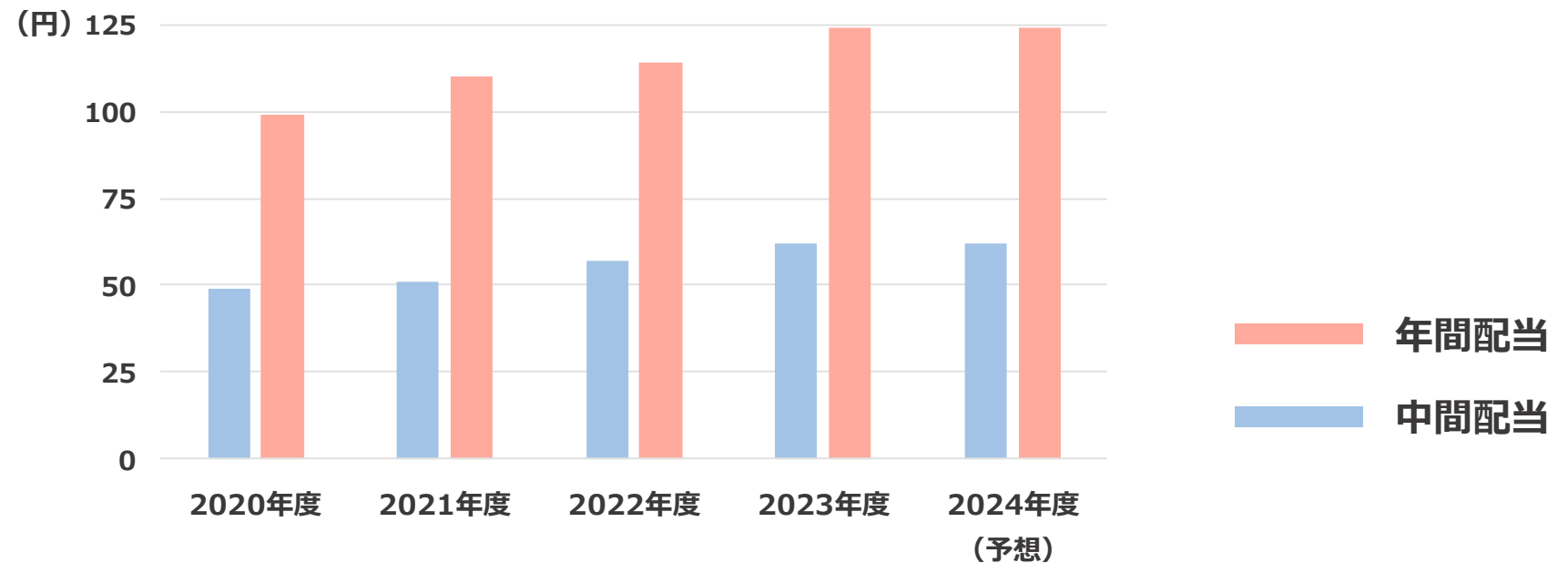
機能食品売上収益予想 の 内訳

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
プロテイン製剤	15,600	67.4%	13,000	60.5%	△ 2,600	△ 16.7%
品質安定保存剤	3,105	13.4%	3,200	14.9%	+95	+3.0%
サプリメント	1,905	8.2%	3,100	14.4%	+1,195	+62.7%
健康食品素材	1,248	5.4%	1,100	5.1%	△ 148	△ 11.9%
その他	1,291	5.6%	1,100	5.1%	△ 191	△ 14.8%
機能食品合計	23,150	100.0%	21,500	100.0%	△ 1,650	△ 7.1%

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。

配当予想

		2023年度	2024年度
普通株式1株当たり配当金	中間配当金	62 円	62 円
	年間配当金	124 円	124 円
基本的1株当たり当期利益		383.82 円	363.76 円
配当性向（連結）		32.3 %	34.1 %



研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当 高垣 和史

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
発売	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	フィンテプラ	レノックス・ガストー症候群（適応追加）	2024年3月承認
承認	NS-87 (daunorubicin / cytarabine)	ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病	2024年3月承認 薬価取得後発売予定
申請	NS-304 (セレキシパグ)	ウプトラビ	小児肺動脈性肺高血圧症	2024年4月
PⅢ試験開始	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	フィンテプラ	CDKL5欠損症	2023年7月
	GA101 (オビヌツズマブ)	ガザイバ	腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	2023年10月
PⅡ試験開始	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年2月
PⅠ試験開始	NS-863	—	循環代謝系疾患	2023年8月
導入 (バイコア社)	C21	—	特発性肺線維症	2024年2月契約締結
アライアンス契約 (日本イーライリリー)	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	—	マンツル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	2024年3月契約締結
一時中断	NS-580	—	子宮内膜症 慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群	—
開発中止	NS-018 (ilginatinib)	—	骨髄線維症	—
	NS-161	—	炎症性疾患	—

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
学会発表	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	第Ⅱ相試験（Galactic53 trial）：2024 Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference	2024年3月
論文掲載	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	長期試験解析データ（投与開始4年後）:Journal of Neuromuscular Diseases	2023年5月
	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	非臨床データ：Molecular Therapy Nucleic Acids	2023年10月
希少小児疾患指定	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2023年6月（米国）
ブレイクスルーセラピー指定				2023年7月（米国）
オーファンドラッグ指定				2023年7月（米国）
				2023年12月（欧州）
希少疾病用医薬品指定	NS-401 (tagraxofusp)	—	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2023年8月（日本）
オーファンドラッグ指定	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2024年1月（欧州）
提携 (MiNA Therapeutics)	—	—	中枢神経疾患領域の難病・希少疾患への適応が期待できる 核酸医薬の創製を目的とした研究提携	2024年4月

医薬品リスク管理計画対象製品

発売
準備中

抗癌性腫瘍剤
ビキセオス[®] 配合静注用
Vyxeos[®] Combination for I.V. Injection

注射用ダウノルビシン塩酸塩・シタラビン リボソーム製剤

創薬、処方箋医薬品（注意—医師等の処方箋により使用すること）

ビキセオス（NS-87）について

ビキセオス（NS-87）の特長

シタラビンとダウノルビシンを5:1の割合で配合したリポソーム製剤。

リポソームのまま骨髄に到達し、長時間残存する。

白血病細胞に取り込まれ、細胞内でリポソームが分解されて有効成分を放出し、薬効を発揮する。



ビキセオス（NS-87）の投与時間・期間



JAZZ社HP VYXEOS preparation and administration
<https://vyxeospro.com/dosing-ordering/preparation>

NS-87と7+3療法の比較（海外P3試験）

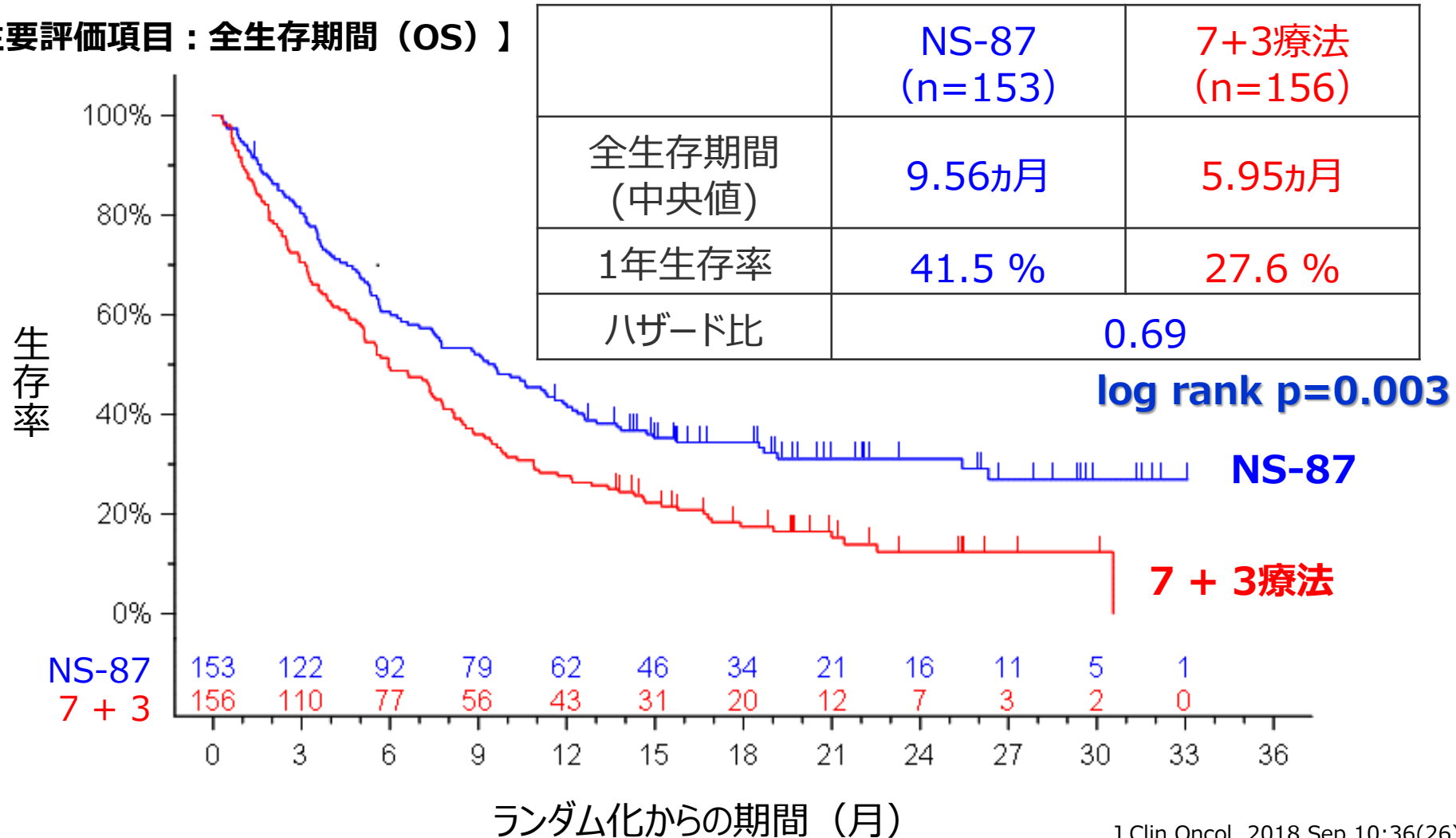
	NS-87		7+3療法（5+2療法）	
寛解導入療法 （1サイクル）	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1	7日間持続静注	15分間点滴静注
		DAY 2		15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 3		15分間点滴静注
		DAY 4		
	DAY 5 90分間静脈内投与	DAY 5		
		DAY 6		
		DAY 7		
寛解導入療法 （2サイクル、必要時）	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1	5日間	15分間点滴静注
		DAY 2		15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 3		
		DAY 4		
	DAY 5			
地固め療法 （1〜2サイクル）	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1	5日間	15分間点滴静注
		DAY 2		15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 3		
		DAY 4		
		DAY 5		

ビセオス (NS-87) 海外P3試験

対象患者：60～75歳の未治療高リスクAML 309例

対 照 群：7 + 3 療法（シタラビン 100 mg/m² + ダウノルビシン 60 mg/m²）

【主要評価項目：全生存期間（OS）】



参考資料

医薬品売上収益の内訳

(百万円)

製品名	薬効	2022年度 実績	2023年度 実績	増減率	2024年度 予想
ビルデプソ		14,341	17,530	+22.2%	20,100
(内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(4,139)	(4,407)	(+6.5%)	(4,600)
(内. 米国)		(10,201)	(13,123)	(+28.6%)	(15,500)
ウプトラビ	肺動脈性肺高血圧症治療剤 慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤	10,543	12,918	+22.5%	15,400
ビダーザ	骨髄異形成症候群治療剤 急性骨髄性白血病治療剤	15,951	10,383	△ 34.9%	4,800
ガザイバ	CD20陽性の濾胞性リンパ腫治療剤 CD20陽性の慢性リンパ性白血病治療剤	4,904	4,695	△ 4.3%	5,100
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	5,358	3,927	△ 26.7%	2,700
シアリス	勃起不全（ED）治療剤	2,938	2,499	△ 15.0%	2,700
エリザス	アレルギー性鼻炎治療剤	2,640	2,284	△ 13.5%	2,100
ザルティア	前立腺肥大症に伴う排尿障害改善剤	2,826	2,256	△ 20.2%	1,600
アドシルカ	肺動脈性肺高血圧症治療剤	2,649	2,255	△ 14.9%	1,700
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	2,524	2,221	△ 12.0%	2,300
共同販促収入		9,520	8,658	△ 9.0%	9,100
工業所有権等収益		30,714	40,304	+31.2%	41,700
医薬品合計		121,988	125,105	+2.6%	128,500

機能食品売上収益 の 内訳

	2022年度		2023年度		差異	増減率	(百万円)
	実績	売上比	実績	売上比			2024年度 予想
プロテイン製剤	15,383	69.3%	15,600	67.4%	+216	+1.4%	13,000
品質安定保存剤	2,905	13.1%	3,105	13.4%	+199	+6.9%	3,200
サプリメント	1,428	6.4%	1,905	8.2%	+477	+33.4%	3,100
健康食品素材	1,118	5.0%	1,248	5.4%	+129	+11.6%	1,100
その他	1,351	6.1%	1,291	5.6%	△ 60	△ 4.5%	1,100
機能食品合計	22,187	100.0%	23,150	100.0%	+963	+4.3%	21,500

財政状況

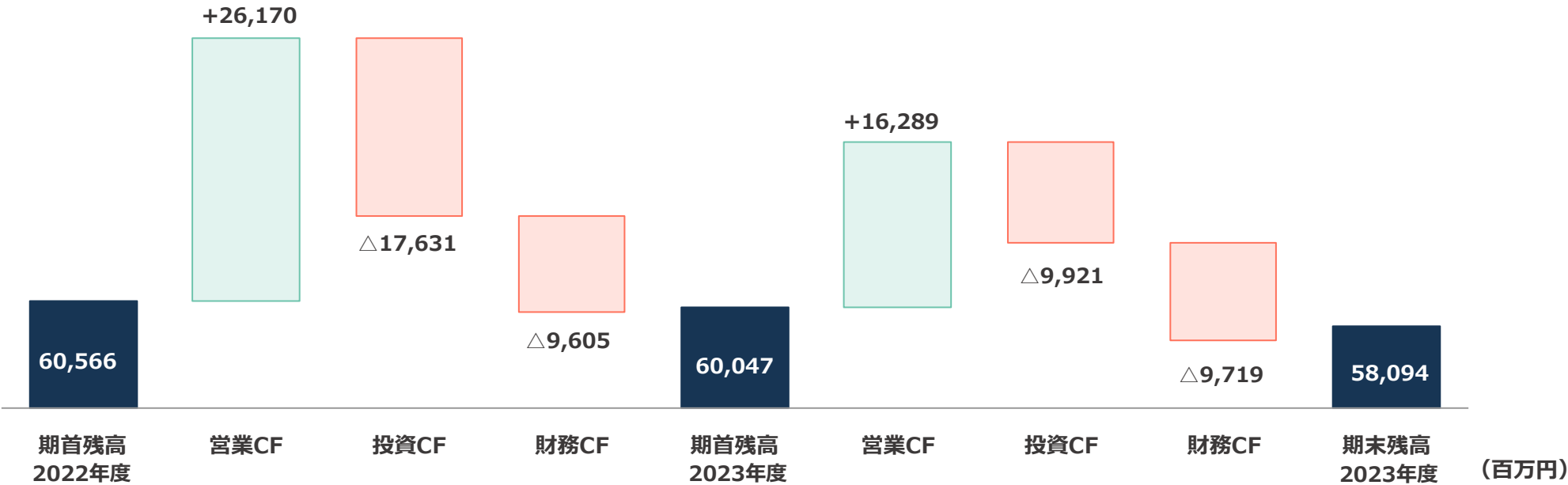
(百万円)	2022年度 期末実績	2023年度 期末実績	差異		2022年度 期末実績	2023年度 期末実績	差異
資産	237,451	263,404	+25,952	負債	41,518	42,870	+1,352
(流動資産)	157,873	164,285	+6,411	(流動負債)	35,183	37,336	+2,153
(非流動資産)	79,578	99,119	+19,541	(非流動負債)	6,334	5,533	△ 801
				資本	195,933	220,534	+24,600
合 計	237,451	263,404	+25,952	合 計	237,451	263,404	+25,952

= 資産の部 =		
棚卸資産		+ 2,752
営業債権及びその他の債権		+ 2,551
その他の金融資産（非流動）		+ 10,553

= 負債・資本の部 =		
営業債務及びその他の債務		+ 4,627
退職給付に係る負債		△ 805

キャッシュ・フローの状況

(百万円)	2022年度 期末実績	2023年度 期末実績	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	26,170	16,289	△ 9,880
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 17,631	△ 9,921	+7,710
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 9,605	△ 9,719	△ 113
現金及び現金同等物の期末残高	60,047	58,094	△ 1,953



パイプライン (1/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	申請区分	適応症	スケジュール	地域
発売 PⅢ	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	自社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年度春頃 P3データ発表予定	日本・米国
発売準備中	NS-87 (daunorubicin / cytarabine)	自社	新配合	高リスク急性骨髄性白血病	承認：2024年3月	日本
申請中	NS-304 (セレキシパグ)	自社	新効能 新用量	小児肺動脈性肺高血圧症	試験終了：2025年度 申請：2024年4月	日本
申請中 PⅢ	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス	新成分	マントル細胞リンパ腫	—	日本
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携	新効能	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本
	GA101 (オビヌツズマブ)	導入	新効能	ループス腎炎	申請予定：2026年	日本
				小児特発性ネフローゼ症候群	申請予定：2026年	日本
				腎症を伴わない 全身性エリテマトーデス	申請予定：2027年以降	日本
	CAP-1002	提携	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	Topline data：2024年末	米国
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス	新成分	慢性リンパ性白血病	—	日本

パイプライン (2/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	申請区分	適応症	スケジュール	地域
P II	NS-304 (セレキシバグ)	自社	新効能	閉塞性動脈硬化症	試験終了：2024年度	日本
	NS-580	自社	新成分	子宮内膜症	一時中断	日本
				慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本
	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	試験終了：2025年度 FPI：2024年2月	日本・米国
P II 準備中	NS-229	自社	新成分	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2025年度	日本・米国
P I / II	NS-401 (tagraxofusp)	導入	新成分	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度	日本
P I / II 準備中	NS-050/NCNP-03	自社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2027年度 FPI：2024年度上期（見込）	日本・米国
P I	NS-917 (radgocitabine)	導入	新成分	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2024年度	日本
	NS-025	自社	新成分	泌尿器疾患	試験終了：2024年度	日本
	NS-863	自社	新成分	循環代謝系疾患	試験終了：2024年度	日本

－ 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試験解析中

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

－ 高リスク急性骨髄性白血病治療剤 －

開発段階： 発売準備

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： 高リスク急性骨髄性白血病（高リスク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

国内初の高リスク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、高い有効性を発揮する

－ 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〉 PⅢ試験
- 開発形態：** ユーシービー社が実施
2019/3 ユーシービー社と日本国内における販売提携契約を締結
- 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
- 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）

－ 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： 申請中、PⅢ試験

開発形態： 日本イーライリリー社が開発
2024/3日本イーライリリー社と日本における
アライアンス契約を締結

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（MCL）
慢性リンパ性白血病（CLL）

剤 型： 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

－ 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

－ 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、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：〈LN〉 PⅢ試験

〈PNS〉 PⅢ試験

〈腎症を伴わないSLE〉 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）
腎症を伴わない全身性エリテマトーデス（SLE）

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

－ 肺動脈性肺高血圧症治療剤、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、申請中

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

－ 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

〈CP/CPPS〉 PⅡa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、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群 (CP/ CPPS)

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
安全性の高いCP/ CPPS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

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

－ 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試験準備中

開発形態： 自社開発

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）

剤型： 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

－ 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 －

開発段階： P I / 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

－ 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

－ 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)

－ 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

－ 循環代謝系疾患治療剤 －

開発段階： P I 試験

開発形態： 自社開発

作用機序： 非開示

適 応 症： 循環代謝系疾患

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 年度決算説明会

2024 年 5 月 14 日

登壇

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 2023 年度決算説明会にご参加いただき、誠にありがとうございます。
厚く御礼申し上げます。

本日は、私から、2023 年度の業績と 2024 年度の業績見通しを、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。

2023年度 概要

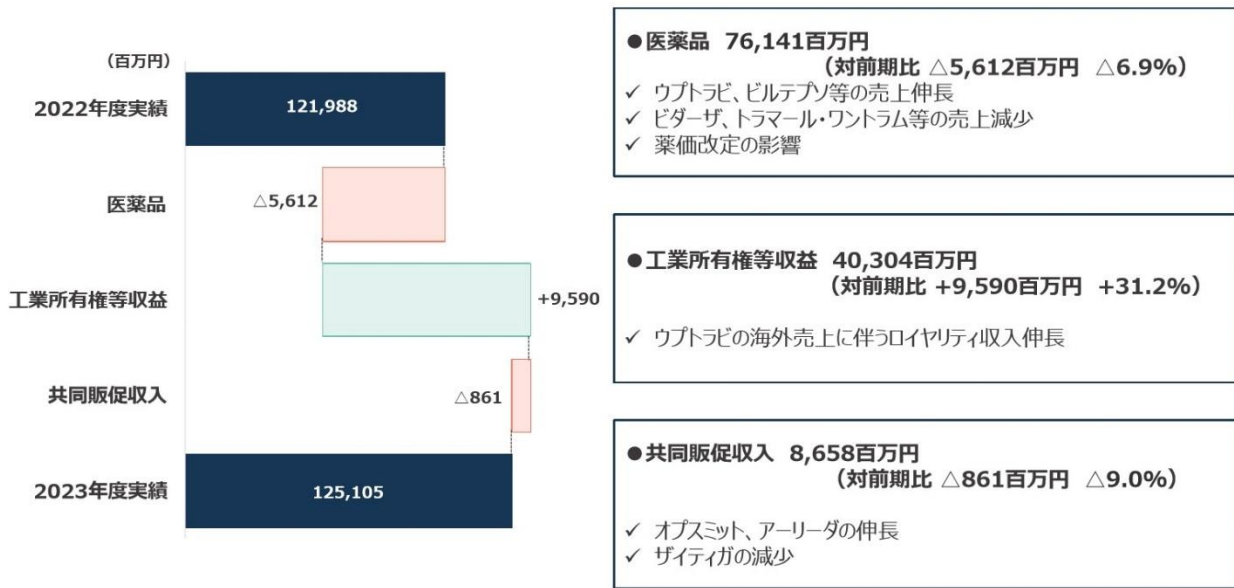
(百万円)	2022年度		2023年度		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	144,175	100.0%	148,255	100.0%	+4,080	+2.8%
（医薬品）	(121,988)	(84.6%)	(125,105)	(84.4%)	(+3,116)	(+2.6%)
（機能食品）	(22,187)	(15.4%)	(23,150)	(15.6%)	(+963)	(+4.3%)
売上原価	55,980	38.8%	50,234	33.9%	△5,746	△ 10.3%
販売費及び一般管理費	34,812	24.1%	34,959	23.6%	+146	+0.4%
研究開発費	24,135	16.7%	31,676	21.4%	+7,541	+31.2%
その他の収益	1,908	1.3%	3,163	2.1%	+1,254	+65.7%
（為替差益）	(1,193)	(0.8%)	(2,486)	(1.7%)	(+1,292)	(+108.4%)
その他の費用	1,106	0.8%	1,252	0.8%	+146	+13.2%
営業利益	30,049	20.8%	33,295	22.5%	+3,245	+10.8%
金融収益	575	0.4%	650	0.4%	+75	+13.1%
金融費用	136	0.1%	329	0.2%	+193	+142.4%
税引前利益	30,489	21.1%	33,616	22.7%	+3,127	+10.3%
法人所得税費用等	7,676	5.3%	7,765	5.2%	+88	+1.2%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	22,812	15.8%	25,851	17.4%	+3,038	+13.3%

3

スライド 3 ページをご覧ください。

2023 年度の業績の概要ですが、連結売上収益 1,482 億 5 千 5 百万円、営業利益 332 億 9 千 5 百万円、税引前利益 336 億 1 千 6 百万円、親会社の所有者に帰属する当期利益 258 億 5 千 1 百万円となりました。

医薬品売上収益の内訳



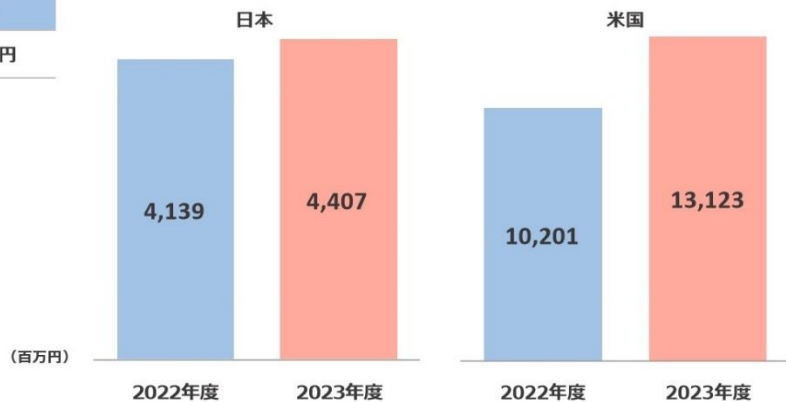
スライド4ページをご覧ください。

医薬品事業ですが、薬価改定の影響や、後発品の影響で「ビダーザ」などの売上が減少したものの、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」などの売り上げや、また、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、1,251億5百万円と、対前期比2.6%の増収となりました。

ビルテプソの売上

(百万円)	2022年度実績	2023年度実績	差異	増減率	
日本	4,139	4,407	+268	+6.5%	✓ 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3分の2以上
ビルテプソ 米国	10,201	13,123	+2,922	+28.6%	✓ 投与患者及び投与希望患者数は増加中 ✓ 第Ⅱ相試験 (Galactic53 trial) データをポスター発表
計	14,341	17,530	+3,189	+22.2%	

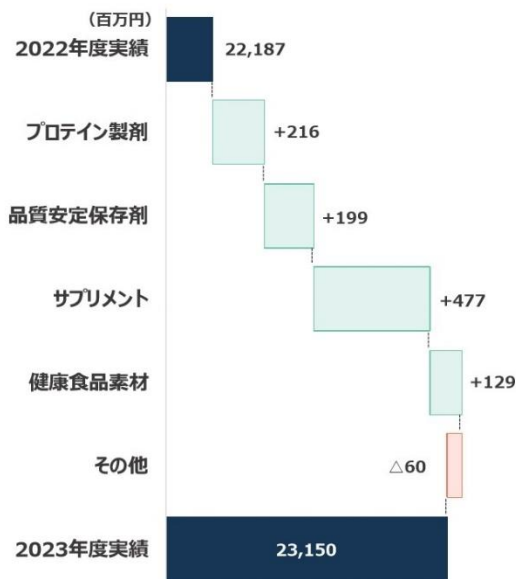
為替	2022年度実績	2023年度実績
1USD	135.5円	144.6円



スライド 5 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デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ」の売上をお示ししております。2023 年度の売上実績ですが、日本国内で 44 億 7 百万円、米国で 131 億 2 千 3 百万円と、対前期比で日米ともに売上は伸長しました。

機能食品売上収益の内訳



●プロテイン製剤 15,600百万円
(対前期比 +216百万円 +1.4%)
✓ 新型コロナウイルス感染症に伴う影響の緩和によりプロテイン製剤が安定的に伸長
✓ 原材料価格上昇分の販売価格への転嫁

●品質安定保存剤 3,105百万円
(対前期比 +199百万円 +6.9%)
✓ ユーザーの新規採用や使用拡大に注力

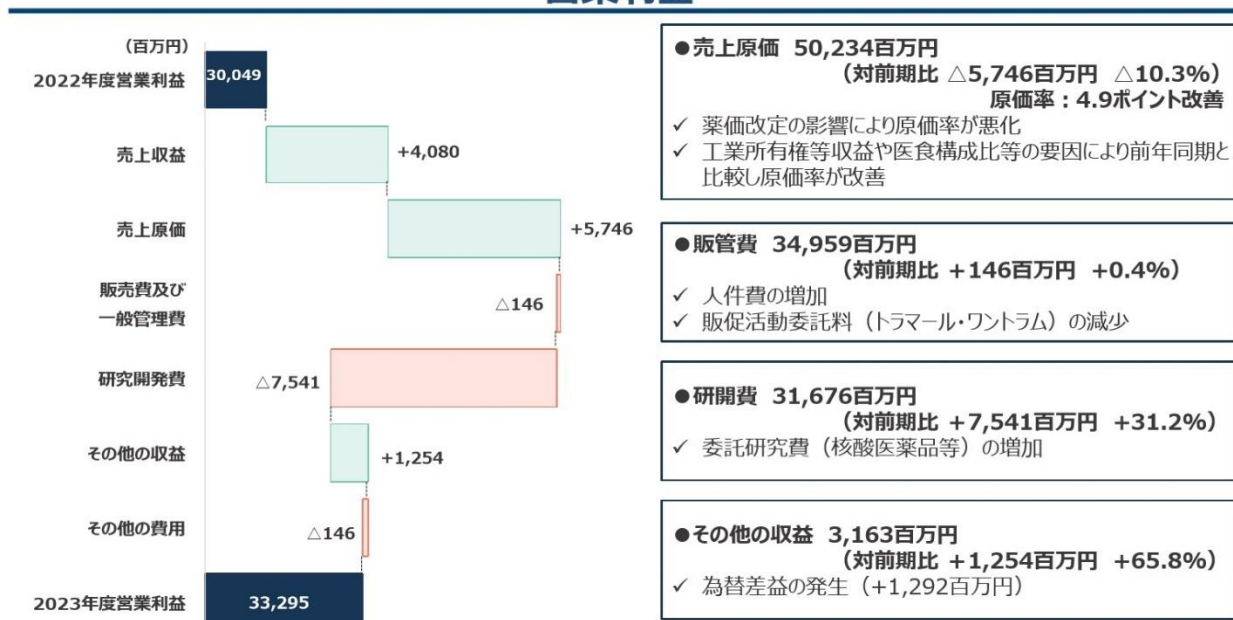
●サプリメント 1,905百万円
(対前期比 +477百万円 +33.4%)
✓ 各地のスポーツイベント開催の増加等、市場変化により「WINZONEプロテイン」を中心に伸長

●健康食品素材 1,248百万円
(対前期比 +129百万円 +11.6%)

スライド 6 ページをご覧ください。

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り各地のスポーツイベントの開催が活発化するなど、市場の変化により「WINZONE プロテイン」を中心にサプリメント等の売上が増加し、機能食品事業の連結売上収益は、231 億 5 千万円と、対前期比 4.3%の増収となりました。

営業利益



スライド7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、薬価改定の影響はあるものの工業所有権等収益や売上構成などの要因により、前期と比べ 4.9 ポイント改善し、33.9%となりました。

販売費および一般管理費は、トラマールの販促活動委託料が減少したものの、人件費の増加などにより、349 億 5 千 9 百万円と、対前期比 0.4%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費の増加などにより、316 億 7 千 6 百万円と、対前期比 31.2%の増加となりました。結果として、営業利益は 332 億 9 千 5 百万円と、対前期比 10.8%の増益となりました。

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
売上収益	148,255	100.0%	150,000	100.0%	+1,745	+1.2%
（医薬品）	(125,105)	(84.4%)	(128,500)	(85.7%)	(+3,395)	(+2.7%)
（機能食品）	(23,150)	(15.6%)	(21,500)	(14.3%)	(△ 1,650)	(△ 7.1%)
売上原価	50,234	33.9%	48,900	32.6%	△ 1,334	△ 2.7%
販売費及び一般管理費	34,959	23.6%	38,700	25.8%	+3,741	+10.7%
研究開発費	31,676	21.4%	31,500	21.0%	△ 176	△ 0.6%
その他の収益	3,163	2.1%	500	0.3%	△ 2,663	△ 84.2%
その他の費用	1,252	0.8%	400	0.3%	△ 852	△ 68.1%
営業利益	33,295	22.5%	31,000	20.7%	△ 2,295	△ 6.9%
金融収益	650	0.4%	600	0.4%	△ 50	△ 7.8%
金融費用	329	0.2%	100	0.1%	△ 229	△ 69.7%
税引前利益	33,616	22.7%	31,500	21.0%	△ 2,116	△ 6.3%
法人所得税費用等	7,765	5.2%	7,000	4.7%	△ 765	△ 9.9%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	25,851	17.4%	24,500	16.3%	△ 1,351	△ 5.2%
為替	2023年度 実績		2024年度 想定			
1USD	144.6円		140.0円			

スライド 8 ページをご覧ください。

続きまして、2024 年度の業績見通しについて説明いたします。連結売上収益は 1,500 億円を見込んでおります。営業費用については、売上原価率は 32.6%と、前期と比べ、1.3 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、387 億円、研究開発費は、315 億円を見込んでおります。

その結果として、営業利益 310 億円、税引前利益 315 億円、親会社の所有者に帰属する当期利益 245 億円と、前期と比べ減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)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
医薬品	76,141	60.9%	77,700	60.5%	+1,559	+2.0%
工業所有権等収益	40,304	32.2%	41,700	32.4%	+1,396	+3.5%
共同販促収入	8,658	6.9%	9,100	7.1%	+442	+5.1%
医薬品合計	125,105	100.0%	128,500	100.0%	+3,395	+2.7%

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」等の伸長に加え、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長等により、増収を見込んでいます。

スライド 9 ページをご覧ください。

医薬品事業においては、売上収益 1,285 億円で、前期と比べ、2.7%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)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
プロテイン製剤	15,600	67.4%	13,000	60.5%	△ 2,600	△ 16.7%
品質安定保存剤	3,105	13.4%	3,200	14.9%	+95	+3.0%
サプリメント	1,905	8.2%	3,100	14.4%	+1,195	+62.7%
健康食品素材	1,248	5.4%	1,100	5.1%	△ 148	△ 11.9%
その他	1,291	5.6%	1,100	5.1%	△ 191	△ 14.8%
機能食品合計	23,150	100.0%	21,500	100.0%	△ 1,650	△ 7.1%

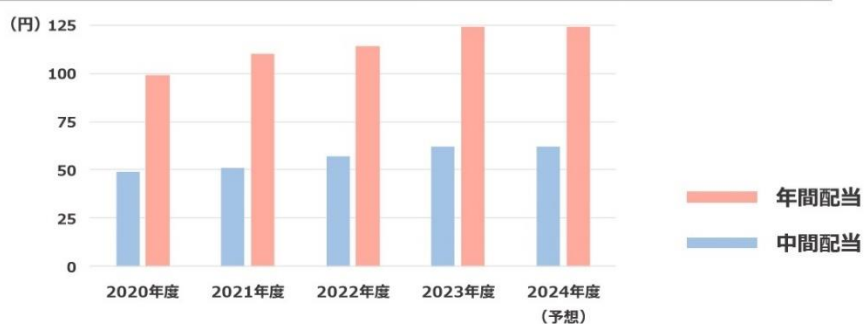
新製品開発・投入に一層注力し、重点品目への取り組みを強化するものの一部製品の販売価格低下の影響もあり、減収を見込んでいます。

スライド 10 ページをご覧ください。

機能食品事業は、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、売上収益 215 億円と、前期と比べ、7.1%の減収を見込んでおります。

配当予想

	2023年度	2024年度
普通株式1株当たり配当金	中間配当金 62 円	62 円
	年間配当金 124 円	124 円
基本的1株当たり当期利益	383.82 円	363.76 円
配当性向（連結）	32.3 %	34.1 %



スライド 11 ページをご覧ください。

当期の配当金につきましては中間配当金 1 株当たり 62 円、期末配当金 1 株当たり 62 円の年間 124 円を予定しております。

以上、2023 年度の業績と 2024 年度業績見通しについての説明を終わらせていただきます。

高垣： 研究開発担当の高垣和史です。

引き続きまして、研究開発品目の進捗状況について 2023 年度 第 3Q の決算以降でアップデートした品目につきまして説明いたします。

R&Dアップデート（1/2）

赤字：2024年2月9日以降のアップデート

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
発売	ZX008 (フェンフルミン塩酸塩)	フィンテブラ	レノックス・ガストー症候群（適応追加）	2024年3月承認
承認	NS-87 (daunorubicin / cytarabine)	ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病	2024年3月承認 薬価取得後発売予定
申請	NS-304 (セレキシバグ)	ウプトラビ	小児肺動脈性肺高血圧症	2024年4月
PⅢ試験開始	ZX008 (フェンフルミン塩酸塩)	フィンテブラ	CDKL5欠損症	2023年7月
	GA101 (オビヌツスマブ)	ガザイバ	腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	2023年10月
PⅡ試験開始	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年2月
PⅠ試験開始	NS-863	—	循環代謝系疾患	2023年8月
導入 (バイコア社)	C21	—	特発性肺線維症	2024年2月契約締結
アライアンス契約 (日本イーライリリー)	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	—	マンツル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	2024年3月契約締結
一時中断	NS-580	—	子宮内膜症 慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群	—
開発中止	NS-018 (ilginatinib)	—	骨髄線維症	—
	NS-161	—	炎症性疾患	—

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 13

スライド13ページをご覧ください。

「フィンテブラ」につきましては、2024年3月にレノックス・ガストー症候群の適応を追加し、すでに臨床現場においてお役立ていただいております。

高リスク急性骨髄性白血病治療剤「NS-87、ビキセオス」につきましては、2024年3月に製造販売承認を取得し発売の準備を進めております。

「NS-304、ウプトラビ」につきましては、2024年4月に小児肺動脈性肺高血圧症に対する国内適応追加申請を行いました。

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試験を開始しました。

特発性肺線維症治療剤「C21」につきましては2024年2月にバイコア社と日本国内における開発および販売に関する独占的ライセンス契約を締結しました。

2024年3月に日本イーライリリーとアライアンス契約を締結した可逆的(かぎやくてき)非共有(ひきょうゆう)結合型(けつごうがた)BTK阻害剤「LY3527727、ピルトブルチニブ」につきましては、マンツル細胞リンパ腫の適応において先日、5月9日の医薬品第二部会で承認を了承されました。

またマントル細胞リンパ腫以外に、慢性リンパ性白血病の適応につきましてもアライアンス契約を結んでおり、いずれの適応においても国際共同フェーズ3試験を実施中です。

本契約に基づき日本国内においては、日本イーライリリーが本剤の製造販売承認を取得後、製品供給を担当し、当社が流通・販売、および情報提供活動を行います。

NS-580 につきましては、子宮内膜症と慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群のいずれの適応におきましても開発を一時中断しております。

また NS-018、NS-161 につきましては、開発を中止しております。

R&Dアップデート（2/2）

赤字：2024年2月9日以降のアップデート

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
学会発表	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテブソ	第II相試験 (Galactic53 trial) : 2024 Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference	2024年3月
論文掲載	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテブソ	長期試験解析データ (投与開始4年後) :Journal of Neuromuscular Diseases	2023年5月
	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	非臨床データ : Molecular Therapy Nucleic Acids	2023年10月
希少小児疾患指定	NS-089/NCNP-02 (brogidirsen)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2023年6月 (米国)
ブレイクスルーセラピー指定				2023年7月 (米国)
オーファンドラッグ指定				2023年7月 (米国)
				2023年12月 (欧州)
希少疾病用医薬品指定	NS-401 (tagraxofusp)	—	芽球形形質細胞様樹状細胞腫瘍	2023年8月 (日本)
オーファンドラッグ指定	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2024年1月 (欧州)
提携 (MiNA Therapeutics)	—	—	中枢神経疾患領域の難病・希少疾患への適応が期待できる核酸医薬の創製を目的とした研究提携	2024年4月

スライド14ページをご覧ください。

ビルトラルセンのフェーズ2試験である Galactic 53 trial については、2024年3月にフロリダで開催されましたMDAのカンファレンスにおいて、その結果がポスター発表されました。

また2024年4月にはMiNA Therapeutics社と中枢神経疾患領域の難病・希少疾患への適応が期待できる核酸医薬の創製を目的として研究提携契約を締結しました。

これにより中枢神経領域においても核酸医薬の技術を応用し、難病・希少疾患でお困りの患者さんに新たな医薬品をお届けできると考えています。

ここからは、2024年3月に製造販売承認を取得しました「NS-87、ビキセオス」の特長について説明させていただきます。

ビキセオス（NS-87）の特長

シタラビンとダウノルビシンを5:1の割合で配合したリポソーム製剤。

リポソームのまま骨髄に到達し、長時間残存する。

白血病細胞に取り込まれ、細胞内でリポソームが分解されて有効成分を放出し、薬効を発揮する。

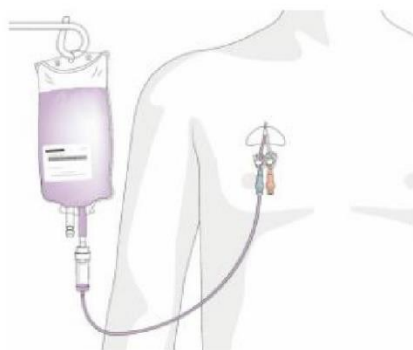


JAZZ社HP Mechanism of Delivery
<https://vyxeospro.com/mechanism-of-delivery>

スライド16ページをご覧ください。

ビキセオスは、従来、白血病治療に用いられているシタラビン及びダウノルビシンを最も抗腫瘍効果の高い5:1の割合で配合したリポソーム製剤です。リポソームのまま骨髄に到達し、長時間残存することが知られています。白血病細胞に取り込まれ、細胞内でリポソームが分解されることで有効成分を放出し、薬効を発揮します。

ビキセオス（NS-87）の投与時間・期間



JAZZ社HP VYXEOS preparation and administration
<https://vyxeospro.com/dosing-ordering/preparation>

NS-87と7+3療法の比較（海外P3試験）

	NS-87	7+3療法 (5+2療法)
(1) サイクル 寛解導入療法	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1 7日間持続静注 15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 2 15分間点滴静注
	DAY 5 90分間静脈内投与	DAY 3 15分間点滴静注
		DAY 4
		DAY 5
(2) サイクル 寛解導入療法	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1 5日間 15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 2 15分間点滴静注
		DAY 3
		DAY 4
(3) サイクル 地固め療法	DAY 1 90分間静脈内投与	DAY 1 5日間 15分間点滴静注
	DAY 3 90分間静脈内投与	DAY 2 15分間点滴静注
		DAY 3
		DAY 4
		DAY 5

スライド 17 ページをご覧ください。

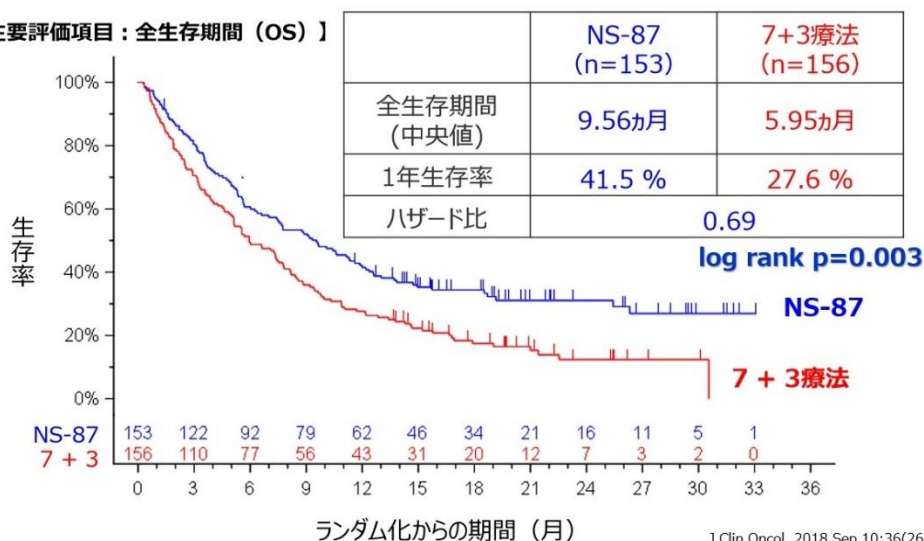
従来の 7+3 療法では、1 サイクルで 5～7 日間持続静注が必要でしたが、ビキセオスは、1 サイクル目は 1、3、5 日の 3 日間、2 サイクル目以降の投与が必要な場合は 1、3 日目の 2 日間に 90 分間の静脈内投与で効果を発揮します。そのため患者さん、医療従事者の皆さまの治療の負担を軽減できる可能性があります。

ビキセオス (NS-87) 海外P3試験

対象患者：60～75歳の未治療高リスクAML 309例

対 照 群：7 + 3 療法 (シタラビン 100 mg/m² + ダウノルビシン 60 mg/m²)

【主要評価項目：全生存期間 (OS)】



スライド 18 ページをご覧ください。

こちらに海外フェーズ3試験の成績をお示ししています。対象は、60～75歳の未治療高リスクAML患者さん309例でした。従来の7+3療法の全生存期間が5.95ヵ月であったのに対し、ビキセオスでは9.56ヵ月であり、有意に全生存期間を延長しました。

海外では、欧米を含む30以上の国または地域において治療関連AMLおよび骨髄異形成変化を伴うAMLの適応で承認されています。なお、本剤は、2022年5月に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けています。

当社は、本剤を必要とする患者さんや医療従事者の皆さまのもとへ適切にお届けすることで、高リスクAMLの治療に貢献できるものと考えております。

以上、研究開発の進捗状況について説明を、終わらせていただきます。

2023 年度決算説明会 Q&A (要約)

2024 年 5 月 14 日開催

NO	質問内容	回答
1	NS-018 の開発中止は、他の JAK2 阻害剤等の競合環境を考えてか。	NS-018 は、他の競合薬剤があまり投与されない血小板数 5 万個未満の骨髄線維症の患者さんをターゲットとして開発を始めたが、その後、競合品が血小板数 5 万個未満の患者さんに使われる形で承認された。既存製品の影響で試験への患者の参加が思うように進まなくなり、開発スピードを踏まえて市場性を考慮した結果、これ以上進めるべきでないと判断した。
2	NS-018 は患者リクルートが進まずに遅れたため戦略的な判断に基づき中止したとのことだが、試験結果次第ではライセンスアウトもできたのではないか。	海外 P2b 試験の結果次第では導出や自社展開できるアセットだと考えていたが、試験完了を待たずにデータを見て中止を判断した。
3	NS-580 の一時中断の理由は。また、試験を再開するために何が必要か。	NS-580 の一時中断は、長期の非臨床試験データを見たところ、本剤の 2 つのターゲット疾患でのリスクベネフィットを考えると試験継続の可否を検討しなければならない状況になったからである。今後は子宮内膜症の P2b 試験の結果等を見て検討を進めるが、動物実験のデータがヒトに外挿性があるかどうかを判断するには、半年くらいは時間が必要だと考える。
4	今回の決算ではいつもと比べると開発の中止・中断の発表が多いが、なぜか。	当社はこれまで拡大基調の段階にあり、開発パイプラインの数も急速に増加してきた。今後は、中長期的な成長を見据え、リスクベネフィットの両面から我々が勝てるものに絞って、優先的に投資をしていく。 開発の中止・一時中断には個別理由があるが、戦略的に考えて優先順位の中から劣後するものを外していった結果である。
5	株価の下落が止まらない。パートナーングを積極的に行うなど、今後、変えようとしていることがあれば教えてほしい。	自分たちの力だけでは限界もあるため、より早期からパートナーを見つけて導出していくことも視野に入れて進めていこうと考えている。自社で POC まで仕上げてからグローバルな開発・販売能力があるパートナーと協業ということは、以前から考えている。品目ごとに方針をご案内していきたい。

6	NS-050 は補足資料において FPI は 2024 年上期で変わっていないが、試験終了時期が前回より 1 年後ろにずれている。なぜか。	NS-050 については P1 試験の用量の漸増などがあり、試験期間が長くなったため、試験終了時期が後ろ倒しになっている。
7	NS-051 の臨床試験開始時期の見通しを教えてください。	NS-051 については、今年度中の試験開始ということでこれまでと変更はない。
8	終わった期のビルテプソの売上は予想に対して下振れしているが、遺伝子治療による影響か。	遺伝子治療の影響は実際には無かった。患者獲得ペースは順調である。23 年第 2 四半期決算説明会時に年前半にちょっとした市場の混乱があったと説明したが、それ以降は正常であり、月ベースの新患数は通常に戻っている。
9	米国のブリッジプログラムはビルテプソ特有か。もしくは CAP-1002 や他のエクソンスキッピング薬の時にも気にしないといけないのか。米国の DMD 領域ではその辺りの対応を行わないと薬剤の浸透は難しいのか。	ブリッジプログラムは同じ薬剤を使い続ける場合に保険の手続きの問題で生じる空白期間に無償提供をするプログラムである。米国では患者さんが 1 年毎に保険の再審査、切り替えを行う都合上、年初めに保険の空白期間が生じることがある。 前期の 4Q にビルテプソが前年同四半期比・ドルベースで減収に転じたのは、空白期間を埋めるため、2 月にブリッジプログラムで無償薬剤を提供する症例が想定より多く、その部分の売上が立たなかったからである。他の薬剤にスイッチしないよう患者さんを繋ぎ止める狙いもあり、希少疾患に対する一般的な企業行動として他社も行っている。CAP-1002 についても同様のプログラムは必要になると思う。
10	保険更新に伴う米国患者の保険空白期間はどの程度か。	1 か月程度である。
11	ビルテプソの P3 試験データの発表スケジュールを教えてください。	データについては近日中にお知らせできるスケジュールで準備を進めている。
12	ビルテプソの P3 試験は終了してから半年以上経っている。データについて当局との議論は既に行っているのか。	P3 の速報時に説明したい。
13	ビルテプソの P3 試験の結果が良かった場合は、欧州、中国、アジアの承認申請が可能になるという理解でよいのか。	中国においては P3 の試験結果を基に、再度承認申請準備をしていく。欧州は当局との小児開発計画の議論を踏まえ、エクソン 53 スキッピング対象患者さんの中の限られた年齢層等での承認が予想される。その後臨床試験を行うなかで薬剤使用対象患者さんが広がっていくことを想定しており、従前からのご案内の内容と変わりはない。

14	欧州、中国については、パートナーリングを含め、どのような展開を考えているのか。	ビルテプソの販売については、中国は自社の現地法人を活用して展開していく。欧州は自社、パートナーリング、他社と一緒に進める等の選択肢の中から戦略的に考えていく。
15	ビルテプソの P3 結果が不芳の場合はどうするのか。	P3 データ開示後にお答えしたい。
16	ビルテプソの未承認薬販売は、将来的に薬剤が正式に承認されれば、単価が上がり、利益に大きく貢献するのか。	承認が取れれば、その国でそのまま商業展開されるが、P3 試験に参加した患者さんの国では未承認という場合、EAP というプログラム下で薬剤を無償提供していく。そのほかに、自費で購入していらっしゃる患者さんがいる国や、償還基金がある国等があり、国によってさまざまである。
17	CAP-1002 や他のエクソンスキッピング薬等の DMD パイプラインで今後も成長できると業界紙のインタビューで中井社長は答えていたが、その考えは今もかわっていないか。	カプリコール社の CAP-1002 については、HOPE-3 という P3 試験をコホート A とコホート B にという 2 つのグループに分けて実施しており、それらの試験結果を見た後に申請を進めるというスケジュールで以前ご案内していた。この 5 月に Pre BLA Submission に関する Type-B ミーティングが行われるという発表がカプリコール社からされているが、その結果を踏まえてローリングサブミッションがされると彼らは考えている。 現在実施中の P3 試験のリードアウトのタイミングが今年の年末に予定されていること、コホート A の結果だけで FDA が承認することを FDA との Type-B ミーティングで確認をとったということを聞いている。そういったことから、承認・上市のタイミングがこれまでご案内していたよりも早まる可能性がある。それも踏まえて今年度の販管費の見通しでは、そういった CAP-1002 の上市準備にかかる費用を NS Pharma の販管費として積んでいる。
18	今期の SG&A 増加要因は CAP-1002 の販管費が要因とのことだが、実際の金額は開示できるか。	具体的な額は回答を差し控えたい。

19	CAP-1002 の市場規模は大きいと思うが、試験成功後にカプリコール社がそれほどの量を製造できるのか。	現在のカプリコール社の製造能力であるが、コホート A で 61 人、コホート B で 44 人、合計 100 人規模の治験薬を作っている。サンディエゴのコホート B 用の治験薬製造サイトで商業用の製剤を作るが、GMP 基準を満たすため、現在カプリコール社が集中的に投資を行っている。現時点で確認できている患者さんには投与できるキャパシティはあるが、DMD の患者さん全体となると、規模の拡大が必要なことは彼らも認識している。CAP-1002 を患者さんに届けられるように製造量を増やしていく予定で進めている。
20	CAP-1002 は、Clinicaltrials.gov では 12 月にトップラインデータの開示予定があるが、コホート A のみか。	カプリコール社が上手く A、B 両サイトの非臨床の比較同等性の証明を当局にすることができたため、コホート A の試験データで、コホート B で製造した製品を販売できることとなった。
21	カプリコール社との提携関係に更なる進展はあるのか。	カプリコール社とは非常に友好的で密接な協業関係がある。CAP-1002 の開発進捗を見守りながら、弊社の全体の戦略のなかで考えていきたい。
22	ビキセオス（NS-87）の今期売上予想は。	売上予想開示はしていないが、より多くの患者さんにお届けしたいという意気込みがある。日本イーライリリー社とアライアンス契約を結んだピルトブルチニブも今年度の発売を予定しており、国内の血液がん領域では高い評価をいただいている企業として、この 2 品目でビダーザ減少分を補っていきたい。
23	日本イーライリリー社とアライアンス契約のピルトブルチニブは、売上計上か、コプロか。	自社で売上計上する。
24	新中計の期間は 5 年間か。一部候補品の中止・一時中断によりパイプラインが今回減少したが、配当性向に今後変わりはないのか。	中計の説明会の時に詳しい話をするが、2028 年度までの原則 5 年間を考えている。ウプトラビの Patent クリフを経て 2028 年度にどのような姿になるのか、またその先にどのような姿を目指しているか、紹介できればと考えている。
25	配当予想が据え置きであり、株価にも大きく影響していると思う。M&A を含む大型の投資を予定しているため、配当が出せないということか。	短期的に配当で株主様にお返しするよりも長期的な成長投資にキャッシュを投入したいという思いからの配当予想である。販売網の獲得やウプトラビの Patent クリフを補う導入など、成長投資により力を入れて取り組みたいと考えている。あらゆる成長機会について検討を行っている。