

**第七次5カ年中期経営計画
(2024年度-2028年度)
~For Global Growth Beyond the Cliff~**

2024年5月28日
日本新薬株式会社
代表取締役社長
中井 亨

- **第六次5カ年中期経営計画の振り返り**
- **経営理念と長期ビジョン**
- **第七次5カ年中期経営計画**

第六次5カ年中期経営計画の振り返り

「世界のヘルスケア分野で存在意義のある会社」として、 社会における存在意義を高めることを目指し、6つの取り組みに挑戦

6つの取り組み

<p>1 研究開発を通じた新しい価値の創造 研究開発力のさらなる向上、新規創薬モダリティへの挑戦 市場ニーズに応えた新製品の上市</p>	<p>成果 (医) 年平均1品目以上の新製品上市 (食) 継続した新製品の開発</p> <p>課題 (医) 臨床開発のスピード・成功確率、新規モダリティの創製</p>
<p>2 グローバル事業の推進 全ての部門においてグローバル事業の展開に適した組織体制の構築</p>	<p>成果 (医) 米国でのビルテプソ自社販売開始、中国でのガスロンN自社販売開始</p> <p>課題 (医) ビルテプソの米国における販売力</p>
<p>3 ESG経営への取り組み強化による企業価値の向上 事業活動を通じたESG（環境・社会・ガバナンス）経営への取り組み強化</p>	<p>成果 外部機関からの評価向上（FTSE構成銘柄選定、SBTi承認取得）</p>
<p>4 一人ひとりが活躍できる組織風土の醸成 一人ひとりが前向きにチャレンジし成長する機会を提供 性別、国籍、文化などの区別なく多様性を尊重</p>	<p>成果 各種制度を導入し、多様な人材が働きやすい環境を整備 「健康経営優良法人～ホワイト500～」認定</p>
<p>5 AIの積極的活用とIT化の推進 AI、RPAなどの積極的な活用による生産性の向上</p>	<p>成果 DXビジョンのもと、DX部門と各部門が一体となりDXテーマを推進（DX認定取得） 生成AIやデータ分析AIを導入し環境整備</p>
<p>6 さらなる経営基盤の強化 ビジネスの高収益化、コストマネジメント、経営資源の有効的な活用、 制度・仕組みなどのマネジメントシステムの再構築</p>	<p>成果 高収益体質・効率的経営を目指した予算管理システムの導入およびコストマネジメントを推進 IFRSの適用を開始</p>

2023年度までの上市予定品目

自 社 品	NS-065/NCNP-01 DMD ビルテプソ 国内外	NS-089/NCNP-02 DMD 国内外	NS-018 骨髄線維症 海外
	○ NS-73 デファイテリオ 国内 肝類洞閉塞症候群（治療）	× NS-73 国内 肝類洞閉塞症候群（予防）	
	○ NS-32 モノヴァー 国内 鉄欠乏性貧血	○ ZX008 フィンテプラ 国内 難治てんかん	
P L C M	○ NS-304 ウプトラビ 国内 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	▲ NS-304 国内 閉塞性動脈硬化症	
	× マシテンタン 国内 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	○ NS-17 ビダーザ 国内 AML	

開発スケジュールが遅延した品目

NS-050/NCNP-03 DMD ▲ 国内外	NS-051/NCNP-04 DMD ▲ 国内外
-----------------------------	-----------------------------

○ : 上市済み

▲ : 遅延

× : 中止

DMD : デュシェンヌ型筋ジストロフィー
AML : 急性骨髄性白血病

6品目の上市を達成

3品目の開発中止

4品目の遅延

① 臨床開発のスピード・成功確率

- NS-089/NCNP-02やNS-050/NCNP-03の試験開始の遅れ
- NS-018の臨床試験の長期化および開発中止
- NS-161の開発中止

② 新規モダリティの研究開発スピード

- 次世代型核酸や遺伝子治療薬の創製にかかる時間

第六次中計で顕在化した
主な経営課題

③ 海外における販売力

- 米国におけるビルテプソ販売直後の立ち上がり
- 発売開始3年を経過するもシェア獲得に時間

第七次中計期間中に、第六次中計で明確になった課題の解決を図る

最終年度の数値目標に対し、機能食品事業の売上収益およびROEを達成

2023年度目標

売上収益	1,500億円
うち医薬品	1,330億円
うち機能食品	170億円
営業利益	400億円
親会社の所有者に帰属する 当期利益	300億円
EPS	445円
ROE	10%以上

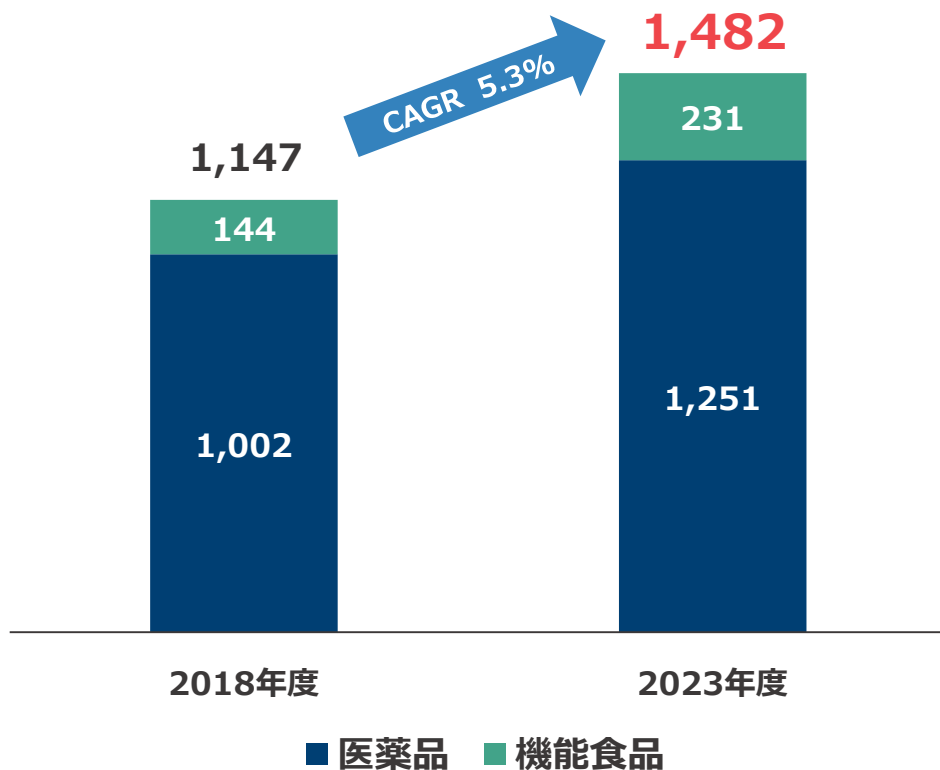


2023年度実績

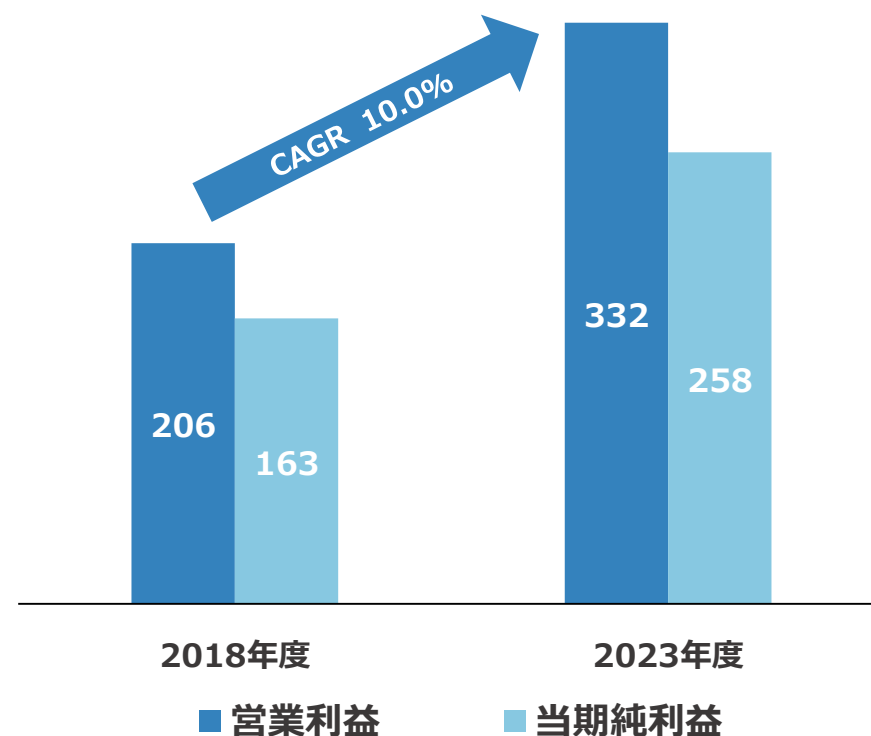
売上収益	1,482億円
うち医薬品	1,251億円
うち機能食品	231億円
営業利益	332億円
親会社の所有者に帰属する 当期利益	258億円
EPS	383円
ROE	12.4%

第六次中期経営計画では、米国・中国での自社販売に取り組むなどグローバル展開に向けた基盤を構築し、**売上、各利益ともに過去最高**となり、成長を遂げた

売上高／売上収益（億円）

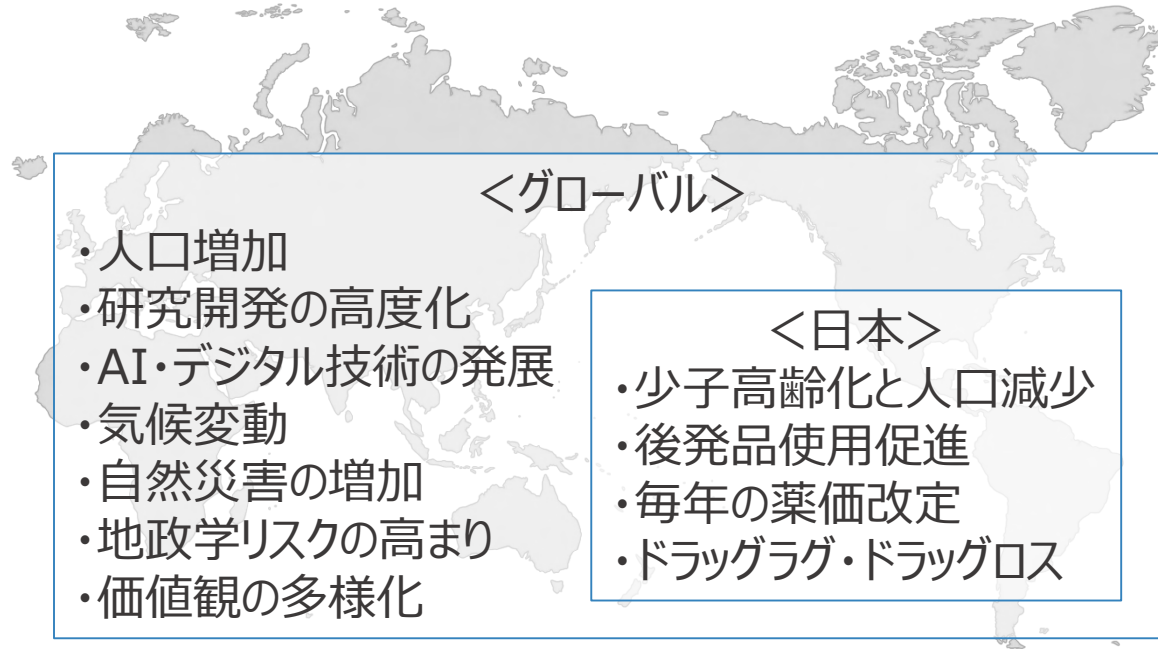


営業利益・当期利益（億円）

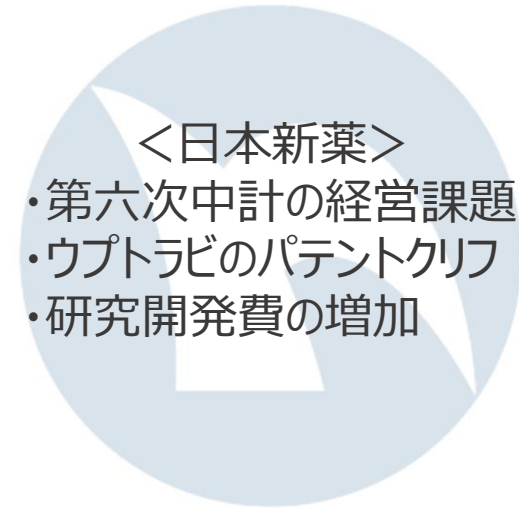


経営理念と長期ビジョン

外部環境



内部環境



日本新薬にとって重要となる取り組み

- 経営環境が厳しくなるなか、日本だけでなく、グローバルを成長市場として捉える。
- 進取の精神で、高度化する技術への対応を迅速に行う。
- 多様化する“生きる”に対応する製品・サービスを提供する。

京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、 一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社

環境変化が激しく先が見えない今、必要とされているのは、新しい幸せのカタチ、新しい生き方についての探求である。

すべての人々が、幸せに“生きる”ことが出来る、そんな世界を創りたいという強い信念を持つ、日本新薬。
これまでも“生きる”ということに本気で向き合い、前例のない難しい課題にも果敢に挑戦してきた、日本新薬。
京都に根付く進取の精神で時代を切り開くというベンチャースピリッツを引き継ぐ、日本新薬。

そんな日本新薬だからこそ創れる、新しい未来がある。

多様な考え方や生き方が存在する中で、“生きる”ということを全社員で考え、
既存の製品・枠組みにとらわれずに世界に向けて価値を提供することで、
世界中の人びとの“生きる”に貢献することを目指す。

医薬品事業と機能食品事業の2つの事業において、他社との差別化を図り、継続的な新製品の上市をグローバルに達成し、2035年に「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」に向け、マテリアリティに掲げた重要課題を解決していくことを目指す。



パシエント・セントリシティ、顧客視点を意識して人々の人生に目を向け、医薬品事業と機能食品事業の2つの事業を軸にした製品・サービスの提供を通じて新しい生きるを届けることで、健康で豊かな生活創りに貢献する。

ありたい姿の実現に向けて

2035年の長期ビジョン「ありたい姿」の実現に向け、
経営方針とサステナビリティ方針を一体として経営を行うことで、マテリアリティ解決を目指す。

経営方針

ありたい姿を実現するための基本方針

- 高品質で特長のある製品やサービスを提供する（顧客）
- 社会からの信頼を得る（社会）
- 一人ひとりが成長する（社員）

サステナビリティ方針

サステナビリティ経営推進の姿勢を明確にするための方針

日本新薬グループは、環境問題や社会課題への対応を経営の最重要課題として捉え、持続可能な社会の実現に貢献します。社員一人ひとりに対してサステナビリティに関する意識をより高めるための教育・啓発を行います。

マテリアリティ

- ①イノベーションの創出による健康未来の実現
- ②多様な人財の育成と社会のウェルビーイングの実現
- ③社会課題の解決とコミュニティの共生
- ④地球環境保護への取り組み強化
- ⑤ガバナンスの強化

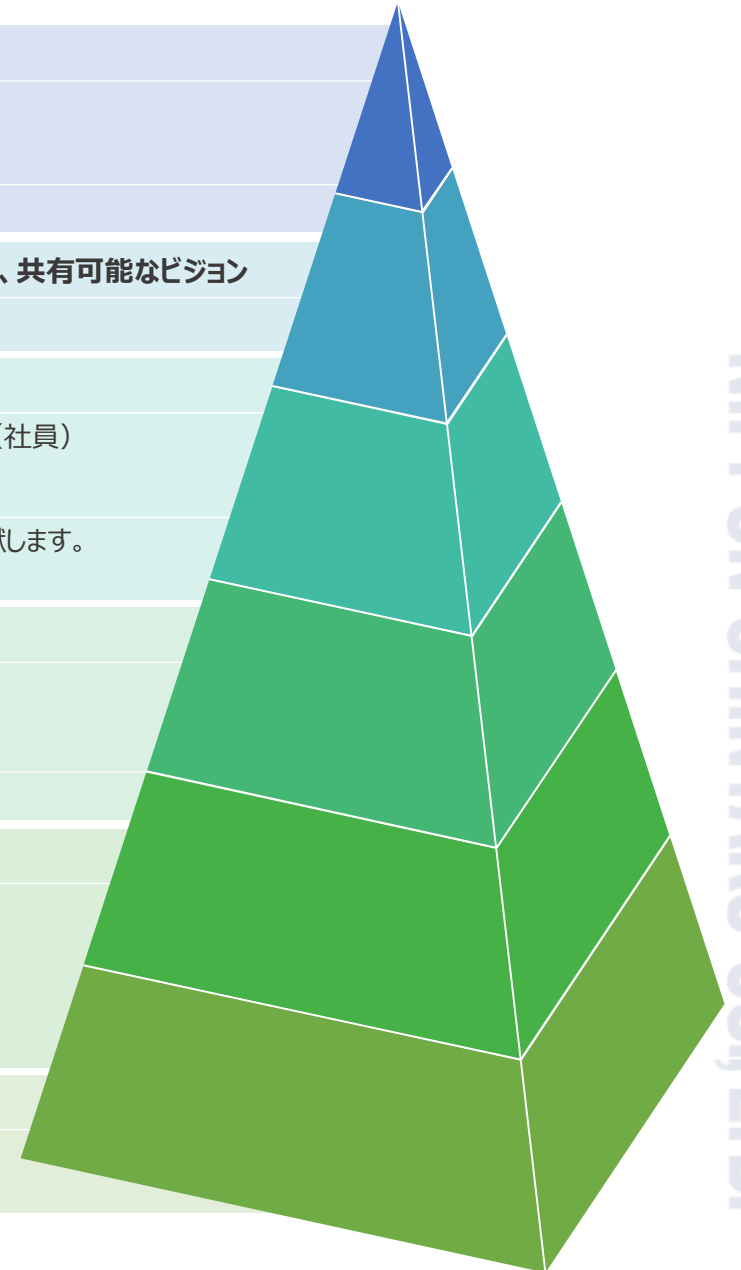
2035年の長期ビジョン「ありたい姿」
京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、
一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社

事業を取り巻く環境が大きく変化したことから、
2023年3月にマテリアリティを見直し

環境変化

- 研究開発費の高騰
- AI・デジタル技術の発展
- ウプトラビのпатентクワ
- 研究開発の高度化
- 少子高齢化
- 自然災害
- 後発品の使用促進
- 毎年の薬価改定

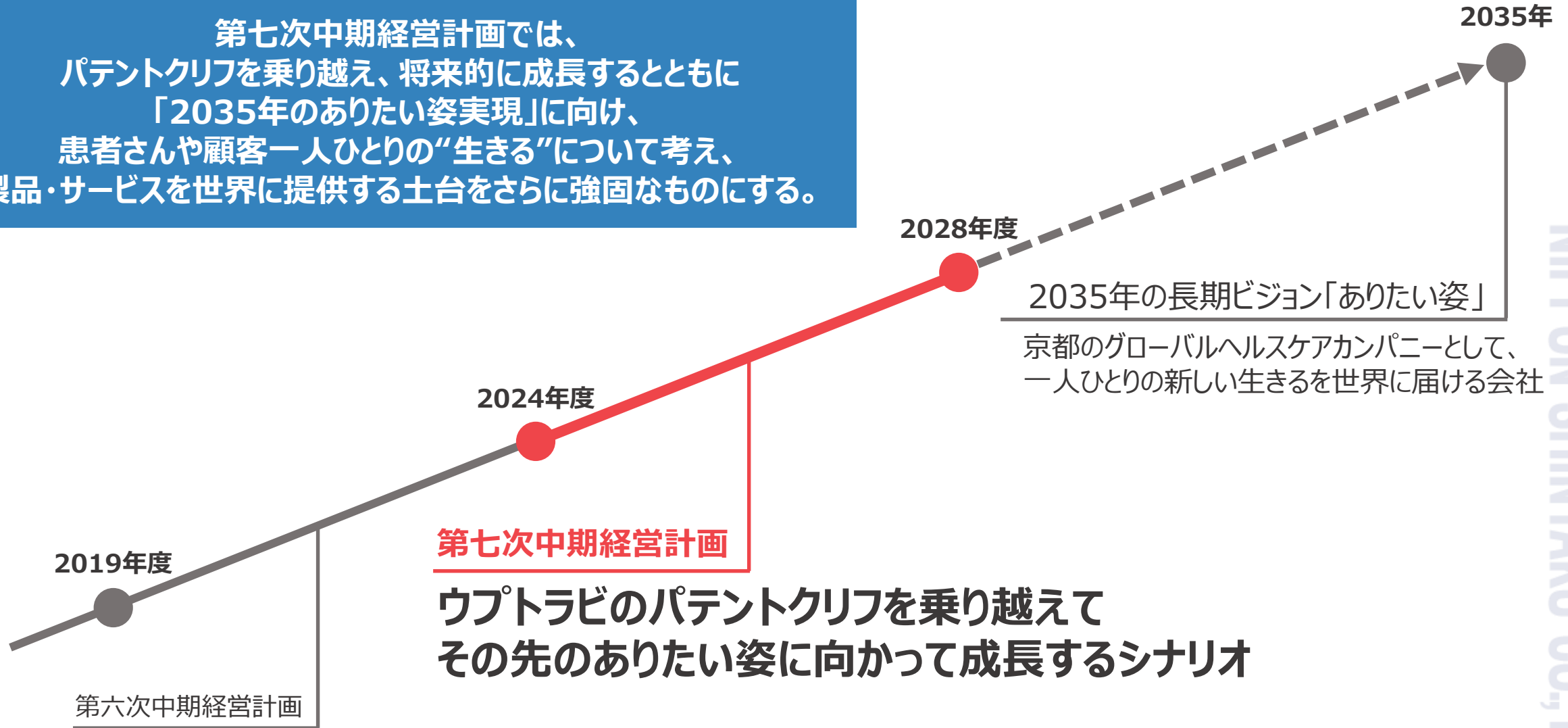
経営理念	事業を進めていくうえでの価値観・判断軸 人々の健康と豊かな生活創りに貢献する
スローガン	経営理念をキャッチーなフレーズにしたもの 新しい生きるを、創る。
2035年のありたい姿	特定の長期の期間において、どのように社会に価値を提供し、長期的かつ持続的に企業価値を向上していくか、共有可能なビジョン 京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社
経営方針	ありたい姿を実現するための基本方針 ・高品質で特長のある製品やサービスを提供する（顧客） ・社会からの信頼を得る（社会） ・一人ひとりが成長する（社員）
サステナビリティ方針	サステナビリティ経営推進の姿勢を明確にするための方針 日本新薬グループは、環境問題や、社会課題への対応を経営の重要課題として捉え、持続可能な社会の実現に貢献します。社員の一人ひとりに対して、サステナビリティに関する意識をより高めるための教育・啓発を行います。
NS Mind	すべての社員が目指す姿勢・意識 ・自分に本気になる ・相手に本気になる ・社会に本気になる
行動指針	仕事を進める上での指針 ・チャレンジ ・スピード ・インベスティゲーション ・スマイル
マテリアリティ	社会とともに持続的に成長するための重要課題 ・イノベーションの創出による健康未来の実現 ・多様な人財の育成と社員のウェルビーイングの実現 ・社会課題の解決とコミュニティとの共生 ・地球環境保護への取り組み強化 ・ガバナンスの強化
経営計画	ありたい姿に向かって成長するためのシナリオ 第七次5か年中期経営計画（2024年度～2028年度） 「For Global Growth Beyond the Cliff」



第七次5カ年中期経営計画

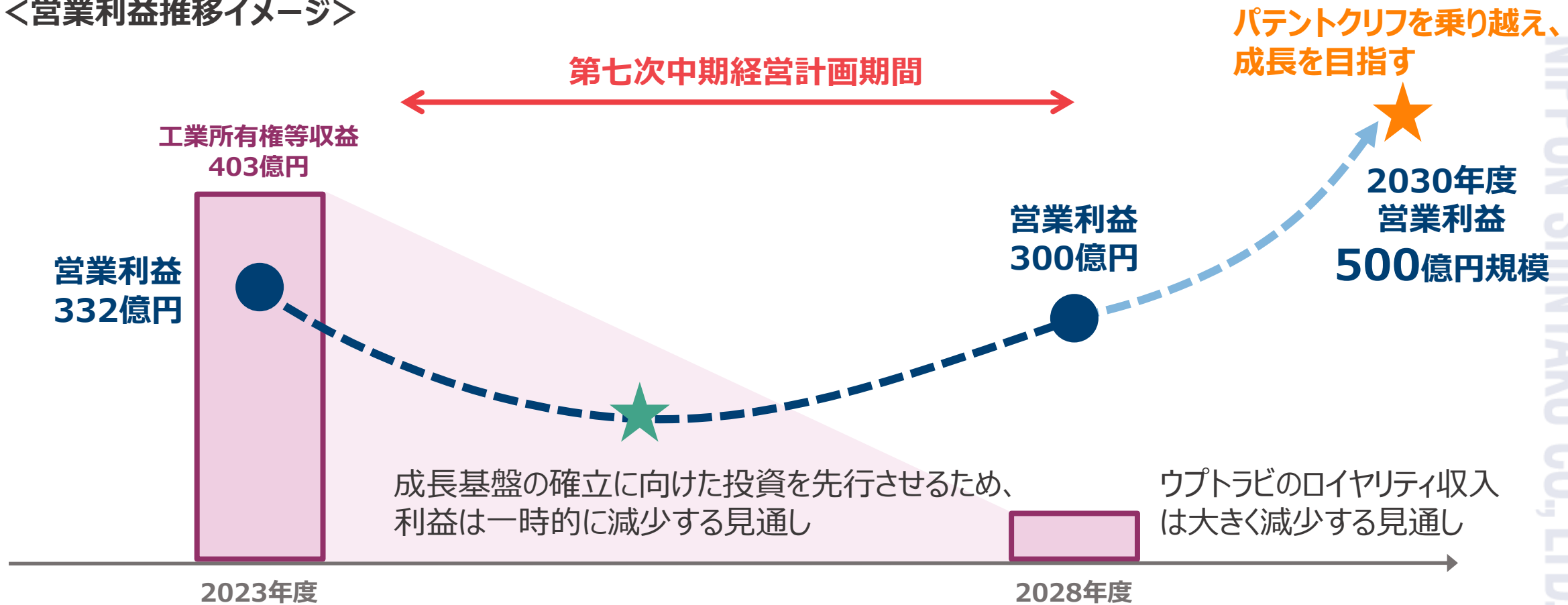
~For Global Growth Beyond the Cliff~

第七次中期経営計画では、
パテントクリフを乗り越え、将来的に成長するとともに
「2035年のありたい姿実現」に向け、
患者さんや顧客一人ひとりの“生きる”について考え、
製品・サービスを世界に提供する土台をさらに強固なものにする。



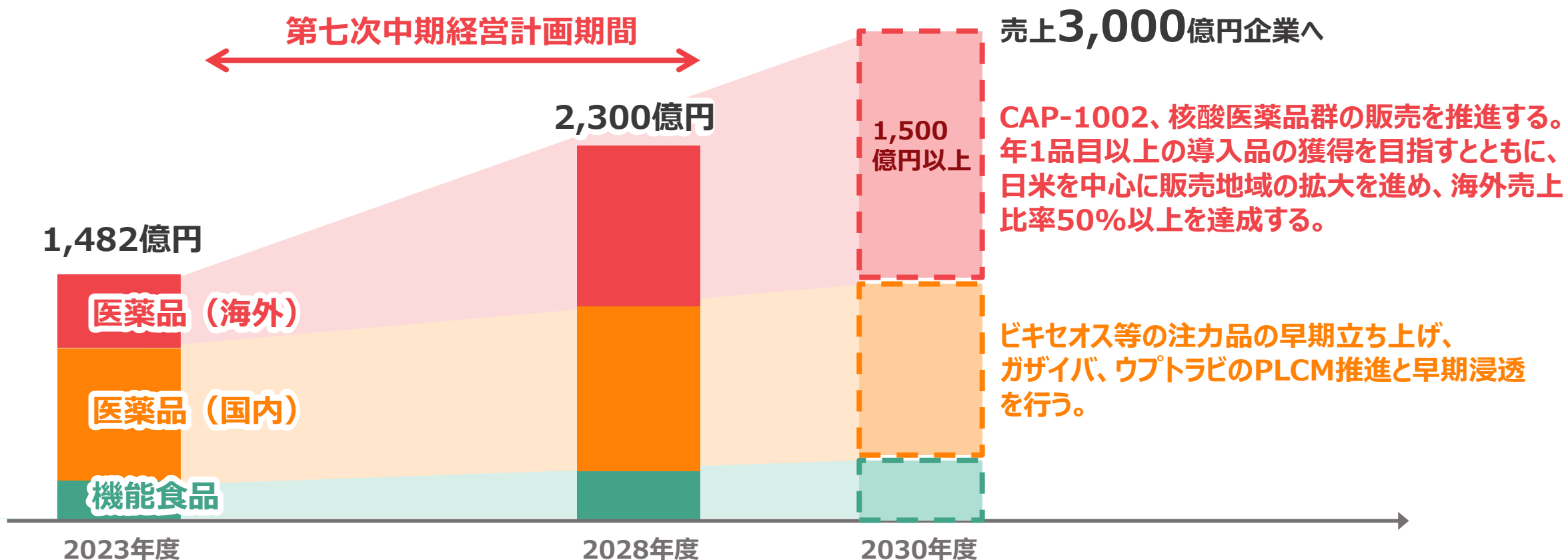
日本新薬の成長を支えてきたウプトラビは2027年度に特許切れを迎え、ロイヤリティ収入が大部分を占める工業所有権等収益は大きく減少する見通し。
 第七次中期経営計画期間は、将来の成長に向けた投資を先行させ、パテントクリフを乗り越え、ロイヤリティ収入に依存しない収益基盤の確立に注力する。

<営業利益推移イメージ>



第七次中期経営計画期間において、研究開発品目、導入品獲得、M&Aなどに投資を推進することで、2030年度には売上収益3,000億円規模に到達するシナリオを描いている。

<売上推移イメージ>



第七次中期経営計画では、ありたい姿の実現に向けて、「3つの重点テーマと5つの経営基盤の強化」を推進する。医薬品事業、機能食品事業それぞれで、事業戦略に基づいた優先順位づけによる経営資源配分・コスト削減を徹底し、事業ごとの資本効率性をROIC※で管理して、資本コストを上回る収益を確保する。

※ROIC (%) = 税引後営業利益 ÷ 投下資本 (固定資産 + 正味運転資本)

<p>2028年度定量目標</p>	<p>売上収益 2,300億円</p> <p>EPS 341円</p>		<p>営業利益 300億円</p> <p>ROE 8%以上</p> <p>ROIC 9%以上</p>		
<p>3つの重点テーマ</p>	<p>I</p> <p>ウプトラビに替わる 成長ドライバーの育成</p>	<p>II</p> <p>グローバル展開 の拡大</p>	<p>III</p> <p>継続的な パイプラインの拡充</p>		
<p>5つの経営基盤の強化</p>	<p>①</p> <p>持続可能な社会 の実現に向けた サステナビリティ 経営の推進</p>	<p>②</p> <p>研究開発の スピードアップ</p>	<p>③</p> <p>社員一人ひとりが 成長し多様な 人財が活躍できる 人的資本経営の推進</p>	<p>④</p> <p>デジタル化推進 による業務変革と 生産性の向上</p>	<p>⑤</p> <p>サステナブルな 成長に向けた 財務戦略</p>

事業戦略

事業戦略

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

- **自社創薬・PLCM** 核酸・低分子創薬を中心に、グローバル展開を狙える疾患・領域に経営資源を集中
特に核酸は、DMDおよびDMD以外の疾患に注力し、2035年までにはDMD以外の疾患について上市を目指す
- **導入** 自社創薬と同等に注力
- **販売** グローバルマーケティングを基本とし、各国ごとに導出・自販などの最適な進め方を検討・推進することで、各リージョンで早期に製品を立ち上げ、シェアを拡大

医薬品事業セグメント定量目標

	2028年度
売上収益	2,030億円
営業利益	282億円
ROIC	9%以上

事業戦略

高品質で独自性の高い高付加価値の素材および最終製品の提供による、安定的な高収益体質への転換

- B to B 事業 食品ロス削減が注目され、需要が高まることが期待される品質安定保存剤に注力
- B to C 事業 スポーツサプリメント「WINZONEプロテイン」の成長をさらに加速
エイジングケアサプリメントの新製品開発によるラインアップの充実化
- 海外展開 アジア諸国をはじめとした海外への事業展開の取り組み・体制づくり

機能食品事業セグメント定量目標

	2028年度
売上収益	270億円
営業利益	18億円
ROIC	9%以上

3つの重点テーマ

I. ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成

第七次中計期間中の成長ドライバーとして、グローバルでDMD治療薬群（CAP-1002、NS-089/NCNP-02、NS-050/NCNP-03、NS-051/NCNP-04）、国内で血液がん新製品群（ビキセオス、ピルトブルチニブ、NS-401）およびPLCM群（ガザイバの腎疾患群、フィンテプラ、ウプトラビ小児・高用量製剤）の製品を上市し、早期に市場浸透させる。

II. グローバル展開の拡大

既進出の米国、中国については製品ラインアップを強化する。
M&Aを含め英独仏を含む欧州及びその他地域の販売エリアを拡大する。

III. 継続的なパイプラインの拡充

臨床段階以降の導入品を獲得するとともに、オープンイノベーション及びAI創薬を活用して自社創薬を強化し、パイプラインを継続的に拡充する。

第七次中計期間中の成長ドライバーとして、DMD治療薬群、血液がん新製品群およびPLCM群の新製品を上市する。

DMD治療薬

CAP-1002 : P3実施中

NS-089/
NCNP-02 : P2実施中

NS-050/
NCNP-03 : P1準備中

NS-051/
NCNP-04 : P1準備中

血液がん治療薬

ビキセオス : 上市済
高リスク急性骨髄性白血病

LY3527727
マントル細胞リンパ腫 : 申請中
慢性リンパ性白血病 : P3実施中

NS-401 : P1/2実施中
芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍

PLCM

ウプトラビ : 申請中
小児肺動脈性肺高血圧症

フィンテプラ : P3実施中
CDKL5遺伝子欠損症

ガザイバ : P3実施中
ループス腎炎
小児ネフローゼ症候群
腎症を伴わないSLE

本計画期間内に、年平均2品目以上の新製品の発売を予定。導入品として毎年1品目以上の獲得を目指す。
 ビルテプソについては、追加のP3試験を実施し、欧州・中国での承認・上市を目指す。

新製品の上市目標

	2024年度	2025年度	2026年度	2027年度	2028年度
国内	NS-87 (ビキセオス) : 高リスクAML*		NS-401 : BPDCN*	NS-089/NCNP-02 : DMD	NS-050/NCNP-03 : DMD
	LY3527727 (ピルトブルチニブ) : MCL*		ZX008 (フィンテプラ) : CDKL5遺伝子欠損症	GA101 (ガザイバ) : 腎症を伴わないSLE	NS-051/NCNP-04 : DMD
	NS-304 (ウプトラビ) : 小児PAH*		GA101 (ガザイバ) : ループス腎炎		
			GA101 (ガザイバ) : 小児ネフローゼ		
海外			CAP-1002 (米) : DMD	NS-089/NCNP-02 (米) : DMD	NS-050/NCNP-03 (米) : DMD
					NS-051/NCNP-04 (米) : DMD
					NS-065/NCNP-01 (欧、中) : DMD

※ 高リスクAML: 高リスク急性骨髄性白血病、MCL: マントル細胞リンパ腫、小児PAH: 小児肺動脈性肺高血圧症、BPDCN: 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍

※ 慢性リンパ性白血病を対象としたLY3527727 (ピルトブルチニブ) については上市時期未定

国内販売戦略 ～迅速かつ効率的に活動できる組織を構築し、広範な製品の市場浸透を図る～

血液領域、肺高血圧症領域、小児神経内科領域は最注力領域とし、既存製品の効能追加や、新製品発売の際には、早期の立上げを最優先にMRチャンネルとデジタルチャンネルを活用したオムニチャンネルでの活動を推進する。

血液領域

- ・ 2024年度にビキセオス、ピルトブルチニブ、2026年度にNS-401を発売予定。
(既存品：ガザイバ、デファイテリオ、ビダーザ、トリセノックス、アムノレイク、キロサイド)
- ・ 各製品の最大化を図りながら、領域No.1メーカーとしてのポジションを確立する。

肺高血圧症領域

- ・ 2024年度にウプトラビの小児の効能追加、以降も既存のウプトラビ、オプスミット、アドシルカに加えラインナップを拡大する。
- ・ ウプトラビを中心に各薬剤のポジショニングを確立させ、領域No.1メーカーとしてPH治療剤全体の最大化をはかる。

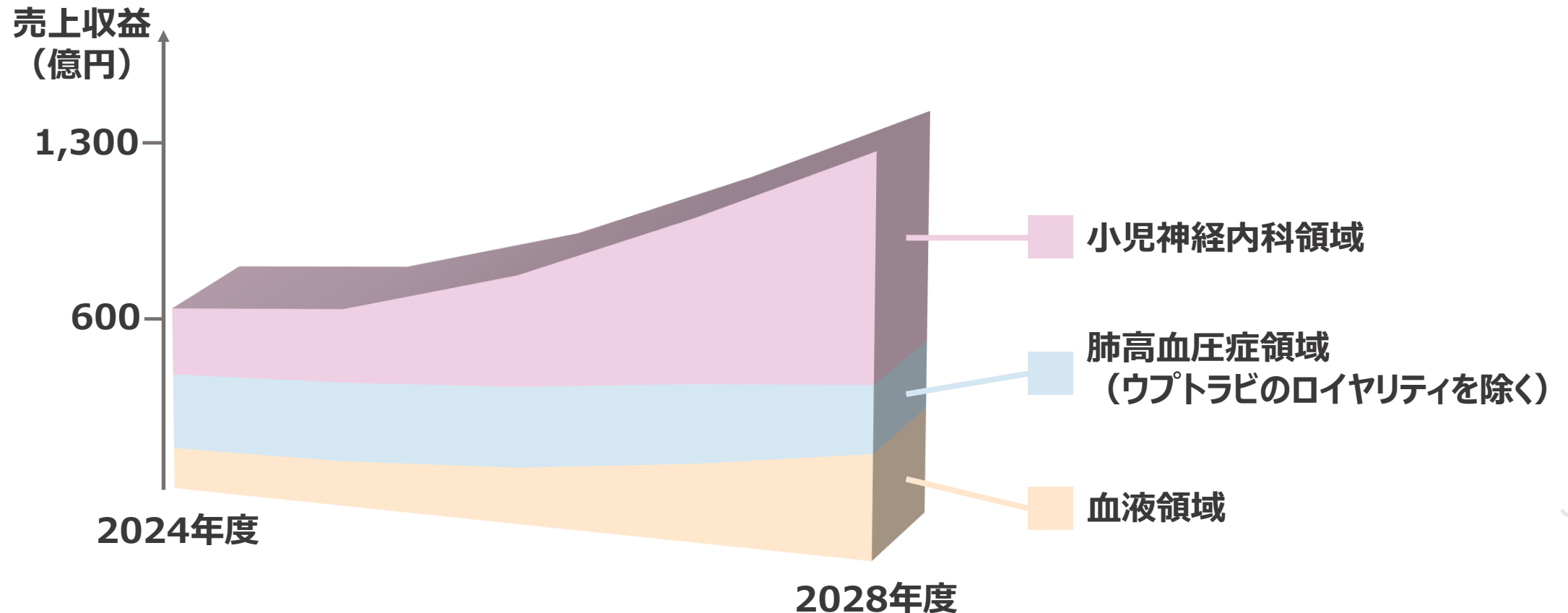
小児神経内科領域

てんかん領域： 2024年3月にフィンテプラがレノックス・ガストー症候群の効能追加を取得。ドラベ、レノックス・ガストー症候群の患者さんへ一刻も早くフィンテプラをお届けし、必要とされる薬剤へと育成する。

DMD領域： ビルテプソの活動によりDMD患者さんの集約施設を特定し、非専門施設からDMD集約施設への医療連携も構築された。今後発売予定の品目にこれらの医療連携スキームを活用し、一刻も早い治療をお届けする。

2028年度 注力3領域 グローバル 売上収益 ⇒ 1,300億円以上を目指す

第七次中計期間中の売上収益拡大イメージ



海外子会社の成長戦略

米国子会社 (NS Pharma, Inc)

ビルテプソに加え、他のDMD治療剤（CAP-1002、NS-089/NCNP-02、NS-050/NCNP-03、NS-051/NCNP-04）の新発売を予定

- 迅速な製品の立ち上げ、効率的なマーケティングの実現
- 販売体制の拡充（包括的患者支援サービス、マーケットアクセス）
- アドボカシー活動の拡大 ⇒ 患者さん・ご家族が安心して治療を続けられる環境を整備
- メディカル活動を拡充 ⇒ 新規の細胞治療を浸透させる

中国子会社 (北京艾努愛世医薬科技有限公司、天津艾努愛世医薬有限公司)

中国でのビルテプソ、機能性食品の販売体制の整備・構築

グローバル展開のさらなる推進、最適な供給体制の確立

- ビルテプソおよびパイプラインにある開発品を世界中の患者さんに提供するため、自社販売・アライアンス・M&A等の手段を検討、グローバル展開を推進する。
- 米国、中国については、販売品目の価値最大化に取り組むと共に、ライセンス活動を推進し、自社創薬品にとどまらない導入品の販売などの事業展開を目指す。
- グローバル展開を円滑に推進するため、研究開発～臨床開発～製造～品質保証～海外子会社のグループ連携を強化する。

グローバル成長を 意識した事業推進

- ・ 欧州の展開方針の策定・実行
- ・ グローバル事業展開地域の調査、
事業推進
- ・ グローバル知財体制の構築
- ・ 経営管理部門のグローバル連携

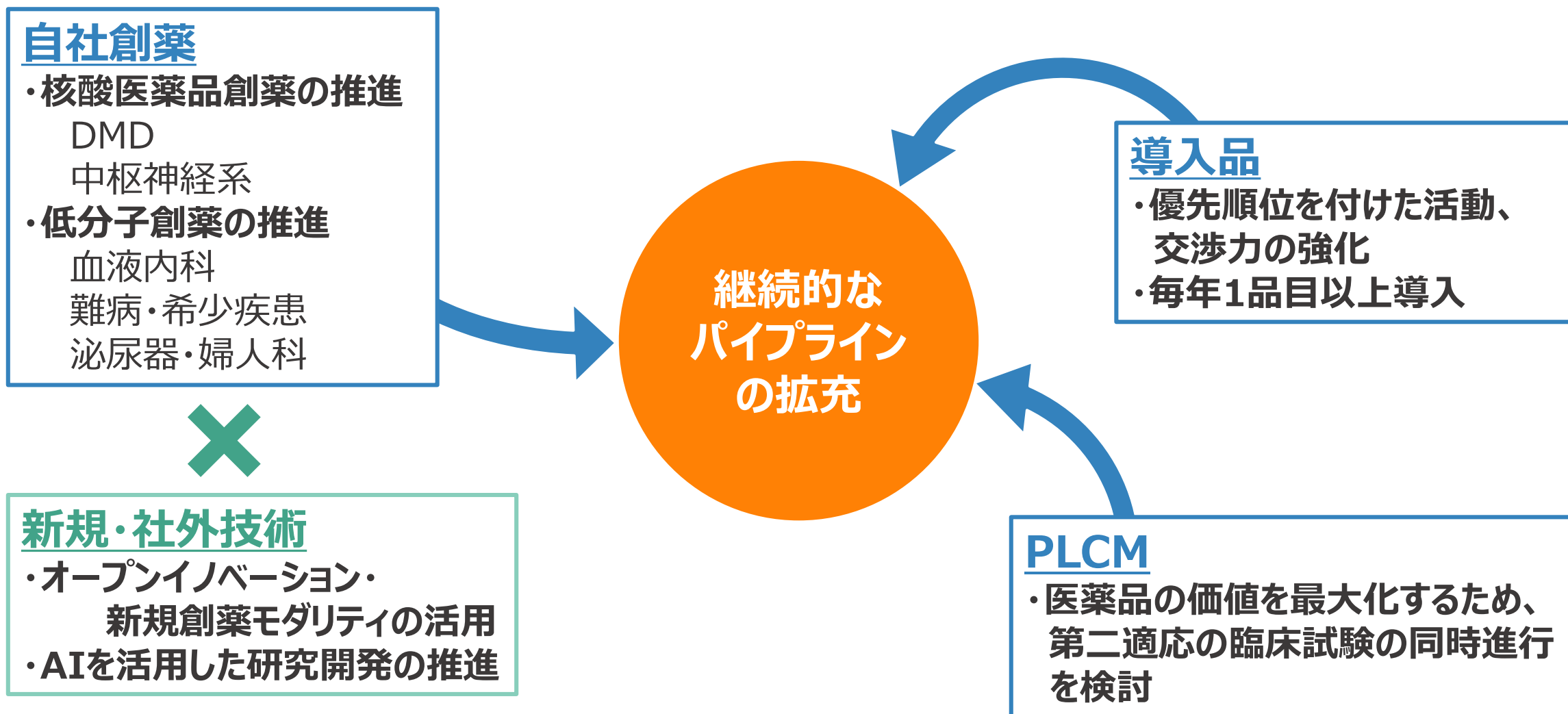
信頼性保証体制の グローバル対応・強化

- ・ 幅広い販売国の規制に対応できる
体制の検討、調査、構築
- ・ 新規モダリティに対応した
信頼性保証体制の確立

サプライチェーンの グローバル対応・強化

- ・ 調達コストの低減、
サステナビリティ調達の実施
- ・ 小田原総合製剤工場の価値向上
核酸原薬精製棟の生産立ち上げ、
既存棟の活性化
- ・ グローバルサプライチェーンの体制整備
- ・ グローバルコールドチェーンの構築

臨床段階以降の導入品を獲得するとともに、オープンイノベーション及びAI創薬を活用して自社創薬を強化し、パイプラインを継続的に拡充する。



核酸医薬品創薬の推進

核酸医薬品は、遺伝情報に作用する



- ・ これまでアプローチ出来なかった標的に作用できる
- ・ 根本原因に対する治療を可能とする

- 原因遺伝子が同定されていても効果的な治療法のない疾患が多数存在する、中枢神経系（CNS）領域の核酸医薬品開発に取り組む。
 - ・ トリプレット・リピート病*の品目で、2026年度の臨床試験入りを目指す。
- オープンイノベーション・新規創薬モダリティを活用し、DMD領域やCNS領域において特長ある医薬品を長期的に創出し続ける。
 - ・ 核酸搭載エクソソーム、遺伝子発現増強核酸、RNA編集・RNAトランススプライシング等による核酸医薬、核酸医薬の経口剤などに取り組む。
 - ・ 核酸創薬と低分子医薬創薬の特長を組み合わせた「核酸・低分子複合体創薬」の開発に取り組む。

*トリプレット・リピート病：遺伝子中の3塩基の繰り返し配列（トリプレット・リピート）の異常伸長によりおこる遺伝性神経疾患（脆弱X症候群、ハンチントン病、球脊髄性筋萎縮症、等）。

5つの経営基盤の強化

持続可能な社会を実現するために、5つのマテリアリティ解決に向けた活動に取り組む。

情報開示の強化のため、IRの専門部署を新設。

環境や社会課題に対する取り組みを示し、2035年に「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして新しい生きるを世界に届ける会社」であるために、社会から信頼されることを目指す。

環境

- 温室効果ガス排出量削減目標（2030年度）
Scope1+2 : ▲42%（2020年度比）
Scope3 カテゴリー1 : ▲25%（2020年度比）
- 資源管理および資源循環
廃プラスチック再資源化率 65%以上
売上1億円当たりの水使用量の継続的な削減

社会

- 人権デュー・ディジエンスの実施など、人権リスクの低減
- 公募研究助成による継続した医療への貢献

ガバナンス

- グローバル全体でのガバナンス体制強化
- リスクマネジメントの強化

情報開示による外部評価の向上、企業価値の向上につなげる

Scope1:事業者自らによる温室効果ガスの直接排出、Scope2:他社から供給された電気、熱・上記の使用に伴う間接排出
Scope3:Scope1、Scope2以外の間接排出、カテゴリー1:購入した製品・サービス

創薬研究の効率化、スピードアップ

年1品目の自社品を上市できる体制の構築

- **限られた資源をどの分野にどの程度投じるかの資源配分、プロジェクトの優先順位付け**
 優先順位（成功確率、収益性、注力領域、事業価値等）に基づいた投資による、バランスの取れた研究開発パイプラインのポートフォリオを実現
- **年1品目の自社品上市を実現するための体制・取り組み**
 - ・合議制の意思決定会議を新設し、迅速な情報共有・課題対応、徹底した進捗管理を行う
 - ・全員起案
 - ・創薬プロセスの整理・最適化による期間短縮
- **AIを活用した効率的な研究開発の推進**

<イメージ>



パイプラインに応じたグローバル開発体制の柔軟な変更、各国の規制当局対応の強化、次の相も見据えた投資タイミングの早期化、頑健性のある試験計画の立案とフィージビリティ確認により、臨床開発をスピードアップする。

臨床開発のスピードアップ

プロジェクトマネジメント強化

- ・ 経営全体での厳格な進捗確認
- ・ メディカルドクター資格保有者の採用による海外当局との交渉力向上
- ・ グローバルで柔軟に対応できる臨床開発体制の構築
- ・ プロジェクトマネジメントツールの活用
- ・ 開発ステップ会議の見直し、POC試験準備の前倒し

迅速承認の可能性を追求

- ・ 早期からバイオマーカー探索を進める
- ・ 当局との合意形成への取り組み

成功確率の向上

- ・ 頑健性のある臨床計画立案
- ・ POC試験の立案強化
- ・ 臨床試験品目の優先順位付け
- ・ POC取得後のパートナーリング検討
- ・ 試験計画立案時期の徹底
- ・ 医療技術評価（HTA）と臨床開発を並行して推進する体制構築

国内の人員を増加させることなく、個々のポテンシャルを最大限に引き出し、少数精鋭の個性派集団となることを目指す。

グローバル

- ・ グローバルで活躍できる人財の獲得・育成
- ・ 米国や中国、欧州のグローバル展開に合わせたローカル人員は増員する方針

国内

- ・ 適所適財、若手抜擢、モチベーション向上施策の実施
- ・ デジタルを活用し、業務改革できる変革人財の育成

<目標実現に向けた取り組み>

人財戦略

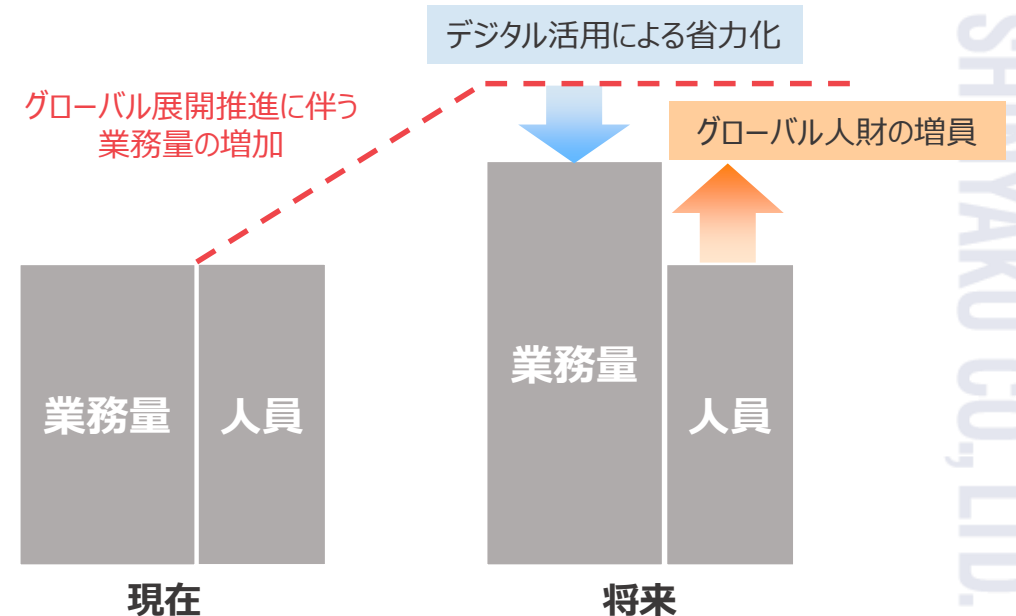
- ・ グローバル人財の獲得・育成
- ・ 全社DX推進を担う「変革人財」の育成
- ・ 異文化体験の提供
- ・ 役割・責任・成果に応じた処遇の実現
- ・ 主体的なキャリア形成と適所適財の実現



組織風土改革

- ・ 日本新薬グループ全体へのありたい姿の浸透
- ・ 一人ひとりの個性が発揮される少数精鋭の組織
- ・ ウェルビーイング、エンゲージメント
- ・ 心理的安全性の高い組織の実現

<人員のイメージ>



デジタル技術の進歩は早く、積極的に活用するため、システムと人材育成に投資する。研究開発や販促活動において発生する課題に対し、データに基づいた迅速な対応を行う。

グローバル化を進めながらも業務効率化、生産性向上を進めなければ利益を生み出し続けることは難しい。

⇒優先すべき「DXテーマ」を定め、経営陣関与のもとで推進する。

日々の業務のやり方を変え、生産性を高めるためにはデジタル技術を積極的に活用できる「変革人材」の育成と全社員の育成を行う。

DX人材育成	成果指標 (KPI)
変革人材の育成	全社員の10%
DX推進人材の育成	全社員の25%
DX基礎知識の定着	全社員の100%

Digital for Smiles

～「デジタル」で世界の人々に「スマイル」を～



戦略1

Digital for Innovation

世界の人々へ、より早くより良い製品やサービスを提供します



戦略2

Digital for Operation

経営基盤を強化し、効率化した業務リソースを創造領域にシフトします



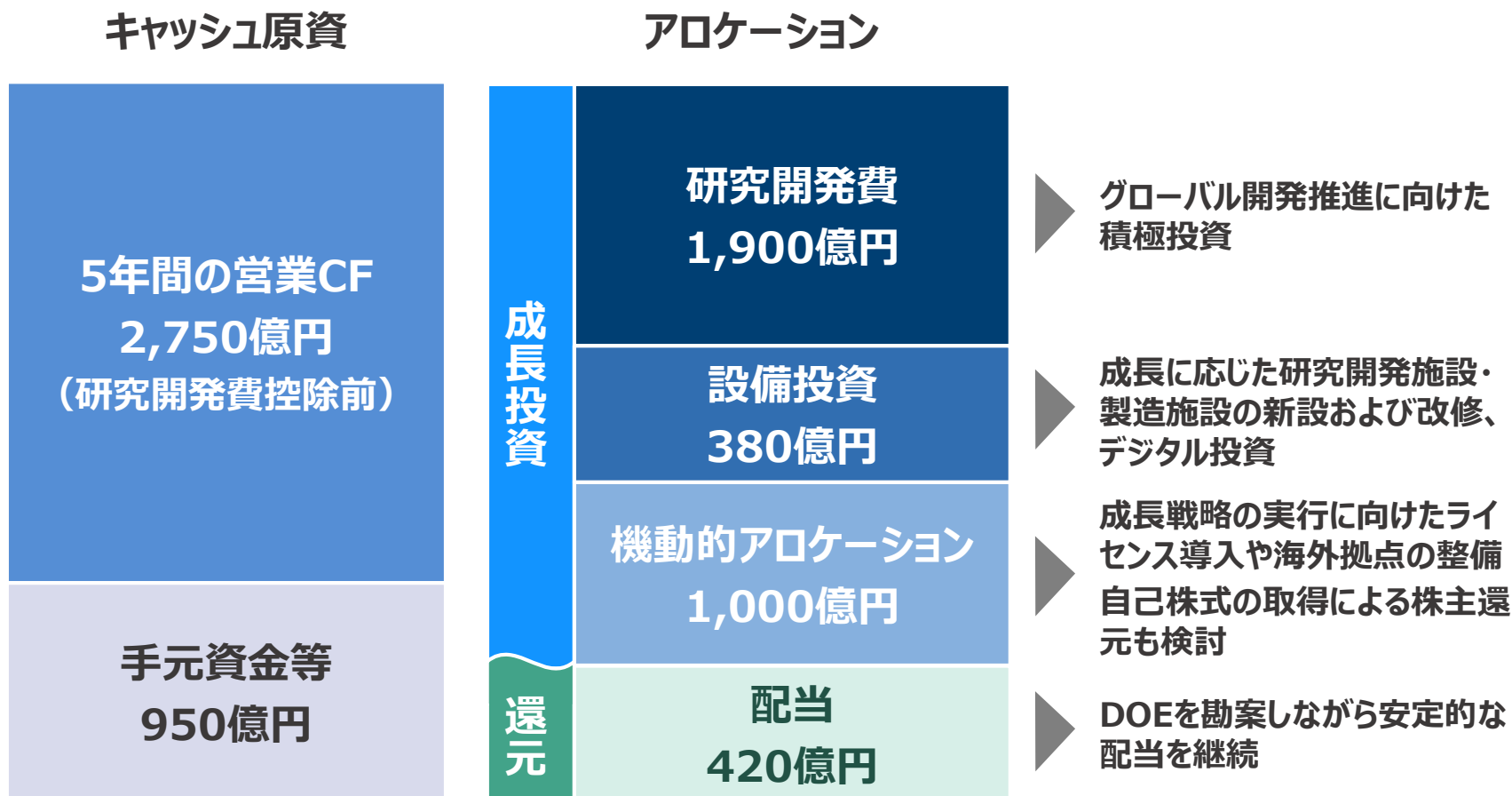
戦略3

Digital for Adaptation

デジタル時代に適した組織づくりや人材育成を推進します

キャピタル・アロケーションを策定して、財務健全性を確保しながら、持続的な成長に必要な戦略的投資を実施する。

「2035年のありたい姿」に向けた3つの重点テーマの推進による営業CFの最大化



経営目標

限られた経営資源を戦略的に投じて、3つの重点テーマと5つの経営基盤の強化に取り組むことで、数値目標を達成する。

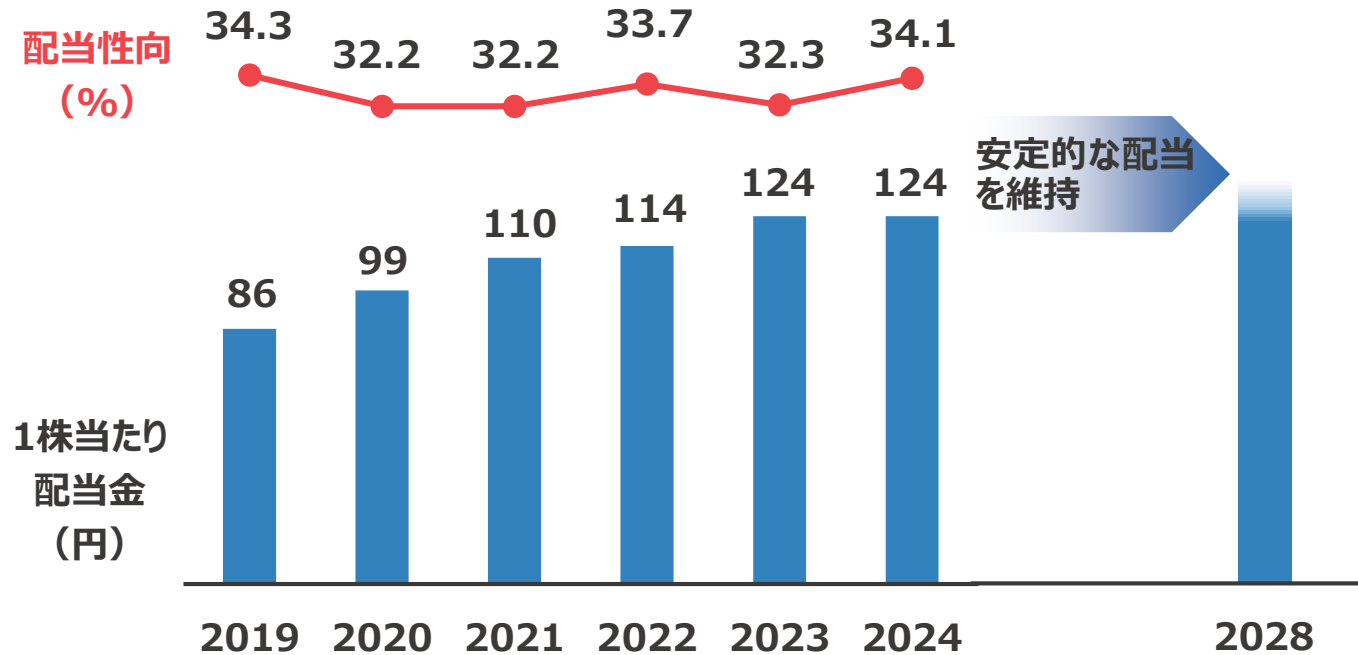
2030年度に売上3,000億円規模、その先の5,000億円企業を目指す土台を作る。

	2023年度	2028年度
売上収益	1,482億円	2,300億円
営業利益	332億円	300億円
EPS	383円	341円
ROE	12.4%	8%以上
ROIC	19.3%	9%以上
為替 (対米ドル)	144.6円	140.0円

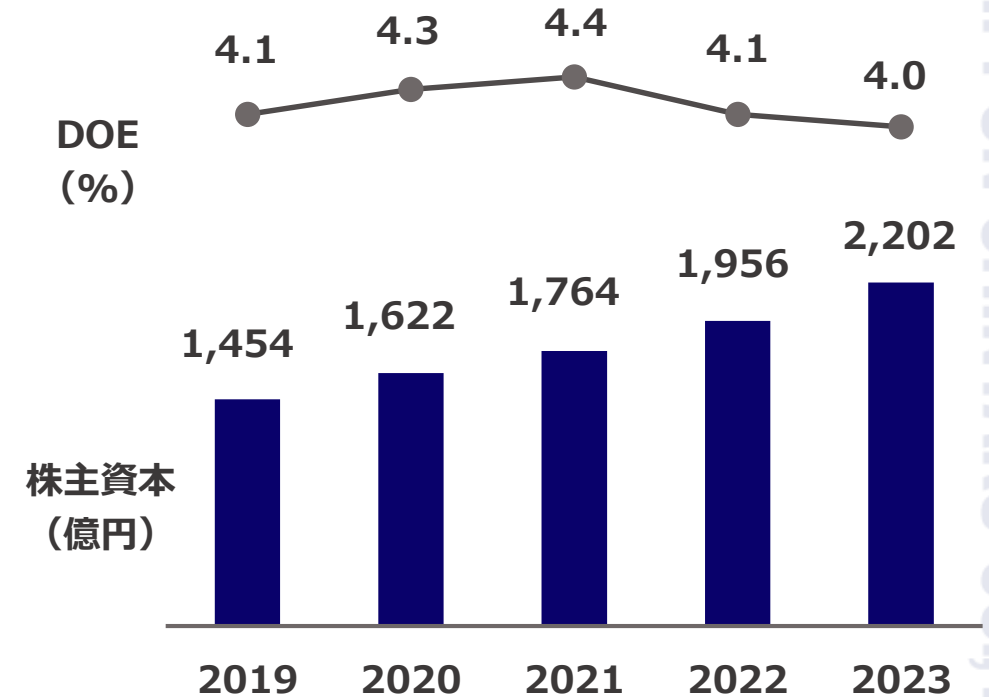
株主還元


DOE（株主資本配当率）を勘案しながら安定的な配当を継続する方針とする。

配当性向と1株当たり配当金の推移



DOEと株主資本の推移



A group of five diverse children are pushing a large, realistic globe of the Earth on a grassy hill under a clear blue sky. The globe is the central focus, showing continents and oceans. The children are dressed in casual, colorful clothing. The scene is bright and optimistic, symbolizing global unity and environmental stewardship.

世界中の人々が健やかに
“生きる”社会を目指して

Toward a society where good health is enjoyed by everyone around the world

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

第七次 5 ヶ年中期経営計画説明会

2024 年 5 月 28 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、中計説明会にご出席いただき、誠にありがとうございます。

早速ですが、本年4月より開始しております、第七次5カ年中期経営計画「For Global Growth Beyond the Cliff」の概要について説明させていただきます。

アジェンダ

2

- 第六次5カ年中期経営計画の振り返り
- 経営理念と長期ビジョン
- 第七次5カ年中期経営計画

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

本日は、このような流れで説明させていただきます。

「世界のヘルスケア分野で存在意義のある会社」として、
社会における存在意義を高めることを目指し、6つの取り組みに挑戦

6つの取り組み	1 研究開発を通じた新しい価値の創造 研究開発力のさらなる向上、新規創薬モダリティへの挑戦 市場ニーズに応えた新製品の上市	成果 (医) 年平均1品目以上の新製品上市 (食) 継続した新製品の開発 課題 (医) 臨床開発のスピード・成功確率、新規モダリティの創製
	2 グローバル事業の推進 全ての部門においてグローバル事業の展開に適した組織体制の構築	成果 (医) 米国でのビルテプソ自社販売開始、中国でのガスロンN自社販売開始 課題 (医) ビルテプソの米国における販売力
	3 ESG経営への取り組み強化による企業価値の向上 事業活動を通じてESG（環境・社会・ガバナンス）経営への取り組み強化	成果 外部機関からの評価向上（FTSE構成銘柄選定、SBTi承認取得）
	4 一人ひとりが活躍できる組織風土の醸成 一人ひとりが前向きにチャレンジし成長する機会を提供 性別、国籍、文化などの区別なく多様性を尊重	成果 各種制度を導入し、多様な人材が働きやすい環境を整備 「健康経営優良法人～ホワイト500～」認定
	5 AIの積極的活用とIT化の推進 AI、RPAなどの積極的な活用による生産性の向上	成果 DXビジョンのもと、DX部門と各部門が一体となりDXテーマを推進（DX認定取得） 生成AIやデータ分析AIを導入し環境整備
	6 さらなる経営基盤の強化 ビジネスの高収益化、コストマネジメント、経営資源の有効的な活用、 制度・仕組みなどのマネジメントシステムの再構築	成果 高収益体質・効率的経営を目指した予算管理システムの導入およびコストマネジメントを推進 IFRSの適用を開始

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

はじめに、2019年4月にスタートし、本年3月に終了しました第六次5か年中期経営計画について振り返ります。

第六次5か年中期経営計画では、「世界のヘルスケア分野で存在意義のある会社」として、社会における存在意義を高めることを目指し、ここに示す6つの取り組みに挑戦してきました。

その結果として、研究開発のスピードなど克服すべき課題はあるものの、年平均1品目以上の新製品の上市や米国でのビルテプソの自社販売開始、SBTi承認取得、ホワイト500企業への継続的な認定、DX認定の取得など、6つの取り組みそれぞれにおいて成果を上げることができました。

2023年度までの上市予定品目

自 社 品	NS-065/NCNP-01 DMD ビルテプソ 国内外	NS-089/NCNP-02 DMD 国内外	NS-018 骨髄線維症 海外
	NS-73 デファイテリオ 国内 肝類洞閉塞症候群（治療）	NS-73 国内 肝類洞閉塞症候群（予防）	ZX008 フィンテプラ 国内 難治てんかん
導 入 品	NS-32 モノヴァー 国内 鉄欠乏性貧血	NS-304 ウプトラビ 国内 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	NS-304 国内 閉塞性動脈硬化症
P L C M	マシテンタン 国内 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	NS-17 ビダーザ 国内 AML	

6品目の上市を達成
3品目の開発中止
4品目の遅延

開発スケジュールが遅延した品目

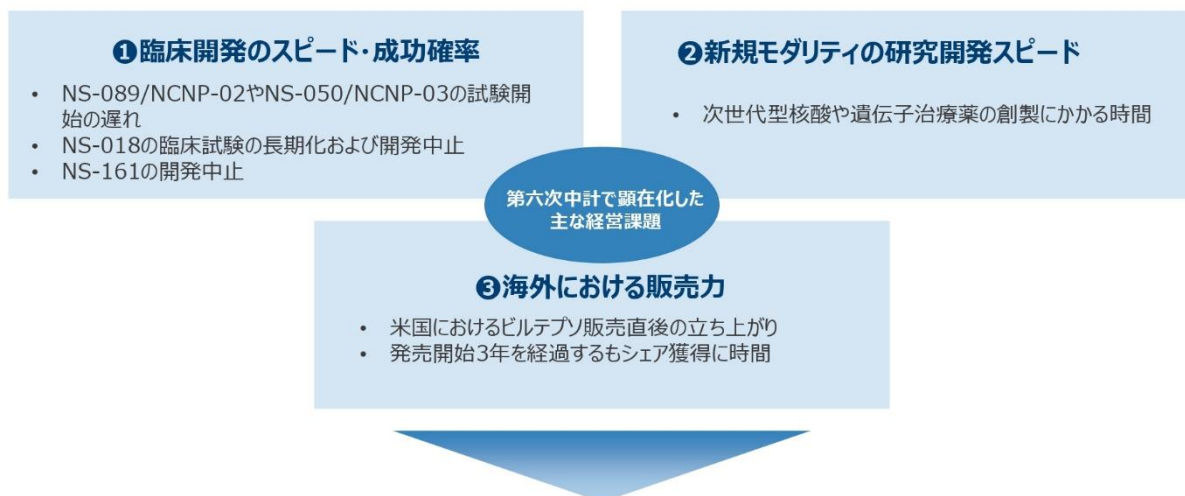
NS-050/NCNP-03 DMD 国内外	NS-051/NCNP-04 DMD 国内外
----------------------------	----------------------------

: 上市済み : 遅延 : 中止 DMD : デュシェンヌ型筋ジストロフィー AML : 急性骨髄性白血病

こちらのスライドでは、第六次中期経営計画開示時の上市予定品目と各品目の達成状況を示しています。

ビルテプソ、デファイテリオ、モノヴァー、フィンテプラの上市や、ウプトラビとビダーザの適応拡大を行い、計6品目の上市を達成することで、目標としていた年平均1品目以上の新製品の上市を達成することができました。

一方で、NS-018の開発中止や、後続の核酸医薬3品目の開発遅延などが発生しました。



第七次中計期間中に、第六次中計で明確になった課題の解決を図る

第六次中期経営計画では、「①臨床開発のスピードおよび成功確率、②新規モダリティの研究開発スピード、③海外における販売力」といった課題が明確になったと考えており、第七次中計ではこれらの経営課題の解決を図ってまいります。

第六次中計の定量計画

最終年度の数値目標に対し、機能食品事業の売上収益およびROEを達成

	2023年度目標	2023年度実績
売上収益	1,500億円	1,482億円
うち医薬品	1,330億円	1,251億円
うち機能食品	170億円	231億円
営業利益	400億円	332億円
親会社の所有者に帰属する 当期利益	300億円	258億円
EPS	445円	383円
ROE	10%以上	12.4%

定量計画については、機能食品事業および ROE は目標を達成しました。一方で、医薬品事業は、円安の影響もあり、ウプトラビのロイヤリティ収入は計画を上回りましたが、薬価の毎年改定が実

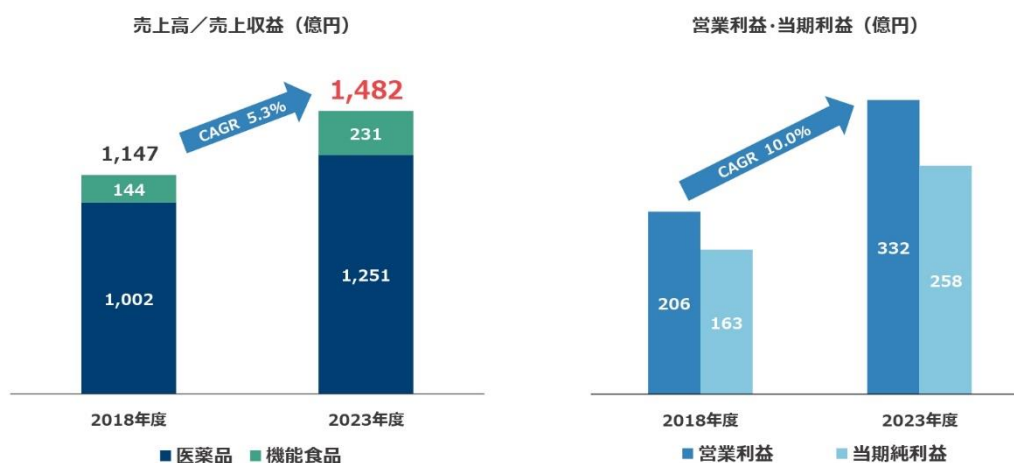
施されたこと、また、新型コロナウイルスの世界的な流行を起因とする診療抑制、受診抑制等の影響により想定した新製品の立ち上がりを実現できなかったこと等により、計画を下回りました。

利益面では、海外展開の積極的な取り組みに加え、米国におけるインフレの影響による販売コストの増加、研究開発費の増加などにより、各利益は目標を下回りました。

第六次中計期間の振り返りのまとめ

8

第六次中期経営計画では、米国・中国での自社販売に取り組むなどグローバル展開に向けた基盤を構築し、売上、各利益ともに過去最高となり、成長を遂げた



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

中期経営計画の定量目標には届かなかったものの、米国や中国での自社販売に取り組むといったグローバル展開に向けた基盤の構築を達成し、最終年度の売上・各利益はともに過去最高となり、持続的な成長を遂げることができたと考えます。



日本新薬にとって重要となる取り組み

- 経営環境が厳しくなるなか、日本だけでなく、グローバルを成長市場として捉える。
- 進取の精神で、高度化する技術への対応を迅速に行う。
- 多様化する“生きる”に対応する製品・サービスを提供する。

続いて、第七次中期経営計画の前提となる経営理念と長期ビジョンについて説明いたします。

当社を取り巻く経営環境は、グローバルにおいては、研究開発の高度化や AI/デジタル技術の発展、価値観の多様化、国内においては、少子高齢化と人口減少、医療費抑制策の強化など、今後も激しく変化していくと考えます。

内部環境としては、第六次中計期間に経営課題が明確となり、研究開発費の増加に加え、ウブトラビのпатентクリフを控えています。

このような環境下において、当社は、グローバルを成長市場として捉えること、進取の精神で高度化する技術への迅速な対応を進めること、多様化する“生きる”というニーズに対して製品・サービスを提供していくことが重要だと考えます。

京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、 一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社

環境変化が激しく先が見えない今、必要とされているのは、新しい幸せのカタチ、新しい生き方についての探求である。

すべての人々が、幸せに“生きる”ことが出来る、そんな世界を創りたいという強い信念を持つ、日本新薬。これまでも“生きる”ということに本気で向き合い、前例のない難しい課題にも果敢に挑戦してきた、日本新薬。京都に根付く進取の精神で時代を切り開くというベンチャースピリッツを引き継ぐ、日本新薬。

そんな日本新薬だからこそ創れる、新しい未来がある。

多様な考え方や生き方が存在する中で、“生きる”ということを全社員で考え、既存の製品・枠組みにとらわれずに世界に向けて価値を提供することで、世界中の人びとの“生きる”に貢献することを目指す。

そこで、こうした環境認識と当社の経営理念などを踏まえ、長期ビジョンである2035年に向けたありたい姿を設定しました。

当社は2035年に、「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」となることを目指したいと考えます。

すなわち、多様な考え方や生き方が存在する中で、当社は、経営理念である「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」ため、“生きる”ということに向き合い、社会に貢献していくことを目指していきます。

医薬品事業と機能食品事業の2つの事業において、他社との差別化を図り、継続的な新製品の上市をグローバルに達成し、2035年に「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」に向け、マテリアリティに掲げた重要課題を解決していくことを目指す。

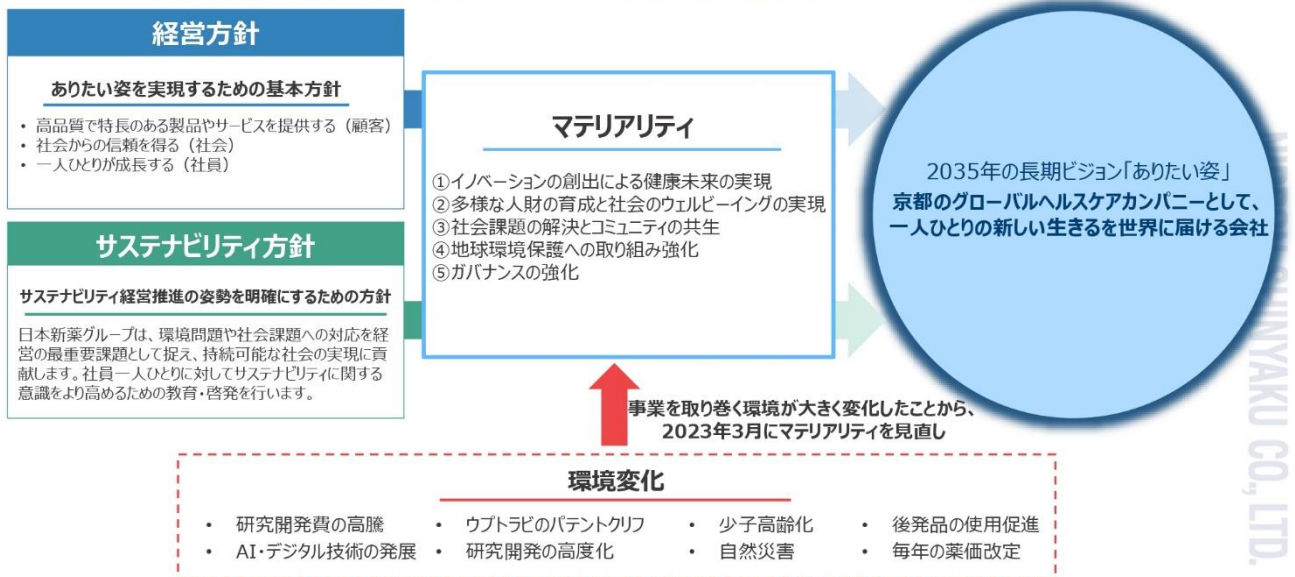


NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

”生きる“に貢献する上で、引き続き医薬品事業と機能食品事業の2つの事業に取り組んでいきます。両事業を通じて、バイシエント・セントリシティおよび顧客視点を意識し、他社との差別化をした製品やサービスの提供を通じて、新しい生きるを世界に届けていきます。

ありたい姿の実現に向けて

2035年の長期ビジョン「ありたい姿」の実現に向け、経営方針とサステナビリティ方針を一体として経営を行うことで、マテリアリティ解決を目指す。



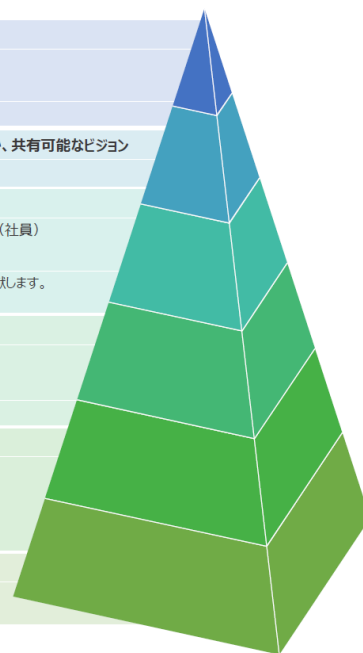
NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

また、ここに示すような環境変化やわかりやすさを考慮し、2023年3月にマテリアリティを5つに見直しました。2035年のありたい姿は、経営方針とサステナビリティ方針を一体として捉えて経営を行い、マテリアリティの解決に向けて取り組んだ先に達成できる姿であると考えます。

経営の全体像

14

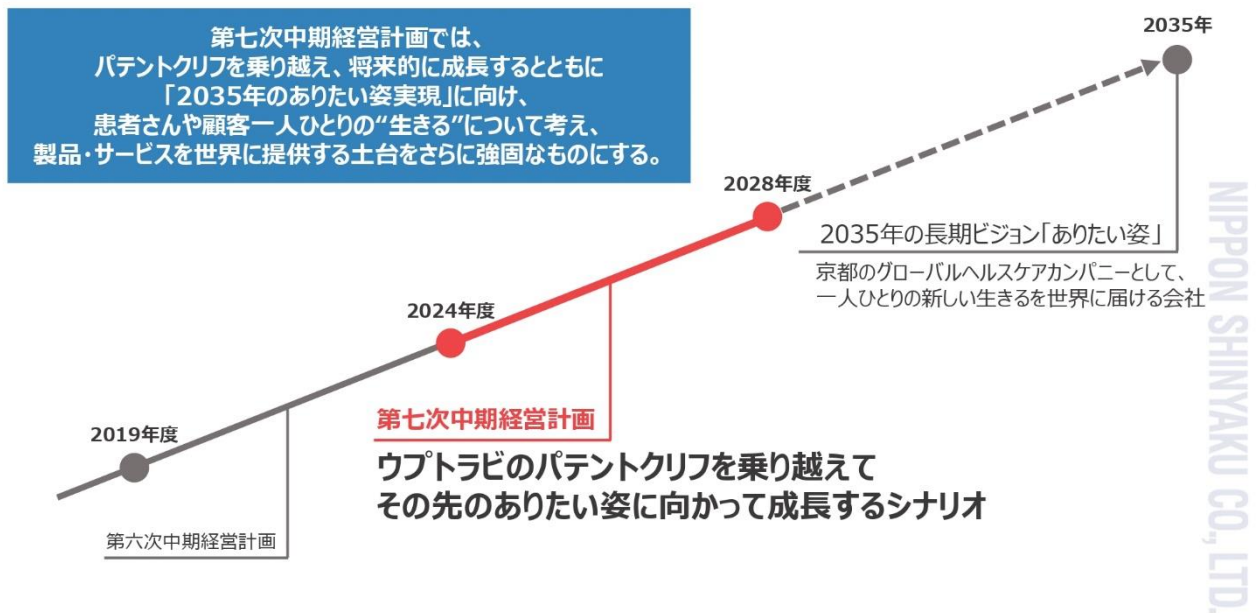
経営理念	事業を進めていくうえでの価値観・判断軸 人々の健康と豊かな生活創りに貢献する
スローガン	経営理念をキャッチーなフレーズにしたもの 新しい生きを、創る。
2035年のありたい姿	特定の長期の期間において、どのように社会に価値を提供し、長期的かつ持続的に企業価値を向上していくか、共有可能なビジョン 京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きを世界に届ける会社
経営方針	ありたい姿を実現するための基本方針 ・高品質で特長のある製品やサービスを提供する（顧客）・社会からの信頼を得る（社会）・一人ひとりが成長する（社員）
サステナビリティ方針	サステナビリティ経営推進の姿勢を明確にするための方針 日本新薬グループは、環境問題や、社会課題への対応を経営の重要課題として捉え、持続可能な社会の実現に貢献します。社員の一人ひとりに対して、サステナビリティに関する意識をより高めるための教育・啓発を行います。
NS Mind	すべての社員が目指す姿勢・意識 ・自分に本気になる ・相手に本気になる ・社会に本気になる
行動指針	仕事を進める上での指針 ・チャレンジ ・スピード ・インベストイゲーション ・スマイル
マテリアリティ	社会とともに持続的に成長するための重要課題 ・イノベーションの創出による健康未来の実現 ・多様な人材の育成と社員のウェルビーイングの実現 ・社会課題の解決とコミュニティとの共生 ・地球環境保護への取り組み強化 ・ガバナンスの強化
経営計画	ありたい姿に向かって成長するためのシナリオ 第七次5か年中期経営計画（2024年度～2028年度） 「For Global Growth Beyond the Cliff」



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

全体をまとめますと、当社は、経営理念である人々の健康と豊かな生活創りに貢献するために事業を行い、2035年のありたい姿の実現を目指していきます。そのために、経営方針とサステナビリティ方針を一体として経営を行い、社員全員がNS Mindと行動指針を実践していきます。

また、当社が持続的に存在し、成長し続けるために、マテリアリティを特定していますが、第七次中期経営計画はマテリアリティの解決にもつながるシナリオとして策定しています。

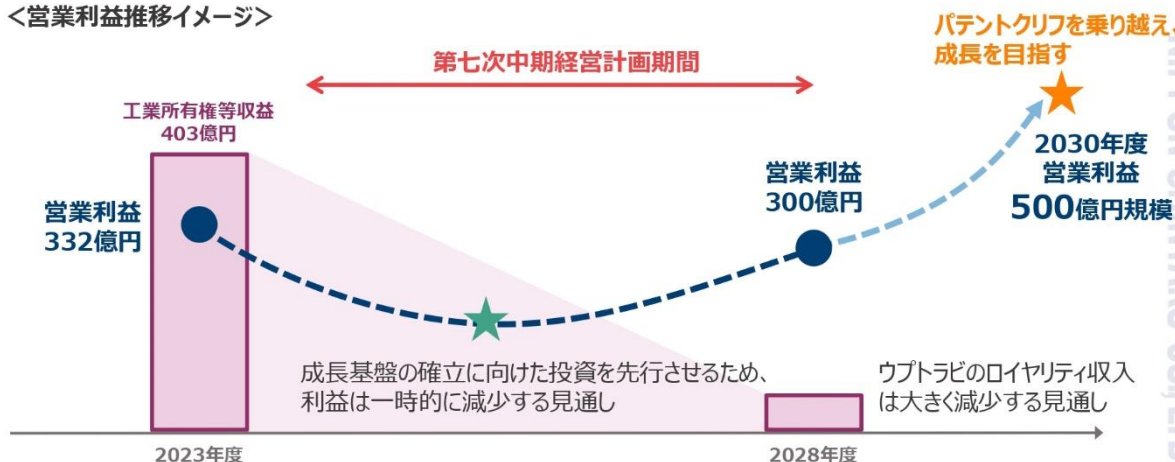


それでは、ここから、第七次5ヵ年中期経営計画、For Global Growth Beyond the Cliff について説明します。

まず、位置づけですが、第七次中期経営計画は、パテントクリフを乗り越え、将来的に成長するシナリオであるとともに、2035年のありたい姿実現に向けて、患者さんや顧客一人ひとりの“生きる”について考え、製品・サービスを世界に提供する土台をさらに強固なものにするシナリオとして策定しています。

日本新薬の成長を支えてきたウブトラビは2027年度に特許切れを迎え、ロイヤリティ収入が大部分を占める工業所有権等収益は大きく減少する見通し。
第七次中期経営計画期間は、将来の成長に向けた投資を先行させ、パテントクリフを乗り越え、ロイヤリティ収入に依存しない収益基盤の確立に注力する。

<営業利益推移イメージ>



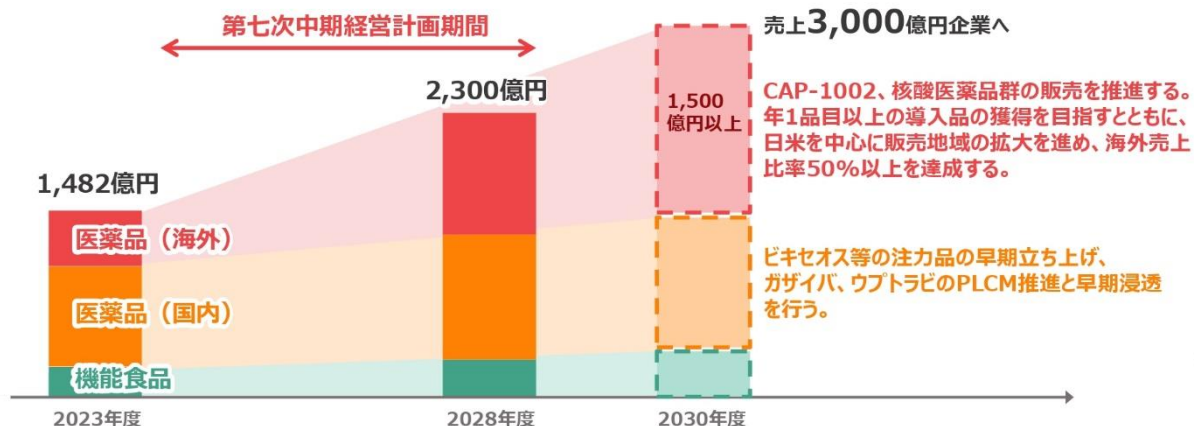
NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

当社はウブトラビによって大きな成長を遂げてきましたが、中計最終年度の2028年度には、特許切れによりロイヤリティ収入が大きく減少する見通しです。

第七次中計期間は、将来の成長に向けた投資を先行させるため、利益は一時的に減少する見通しですが、パテントクリフを乗り越え、ロイヤリティ収入に依存しない収益基盤の確立に注力し、2030年度に営業利益500億円規模を目指します。

第七次中期経営計画期間において、研究開発品目、導入品獲得、M&Aなどに投資を推進することで、2030年度には売上収益3,000億円規模に到達するシナリオを描いている。

<売上推移イメージ>



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

第七次中計期間は、研究開発や導入品の獲得、M&Aなどに投資を行い、CAP-1002 および核酸医薬品群の販売を推進し、国内以上に海外売上を伸ばさせることで、2030 年度には売上収益 3,000 億円規模かつ海外売上比率が 50%以上の企業へと成長させます。

つまり、私が社長就任時のコミットメントとして示したように、売上・営業利益は 2020 年度実績の倍増以上の目標を達成するシナリオを描いています。

第七次中期経営計画の概要

19

第七次中期経営計画では、ありたい姿の実現に向けて、「3つの重点テーマと5つの経営基盤の強化」を推進する。医薬品事業、機能食品事業それぞれで、事業戦略に基づいた優先順位づけによる経営資源配分・コスト削減を徹底し、事業ごとの資本効率性をROIC※で管理して、資本コストを上回る収益を確保する。

※ROIC (%) = 税引後営業利益 ÷ 投下資本 (固定資産 + 正味運転資本)

2028年度定量目標	売上収益 2,300億円		営業利益 300億円	
	EPS 341円	ROE 8%以上	ROIC 9%以上	
3つの重点テーマ	I ウプトラビに替わる 成長ドライバーの育成		II グローバル展開 の拡大	
			III 継続的な パイプラインの拡充	
5つの経営基盤の強化	① 持続可能な社会 の実現に向けた サステナビリティ 経営の推進	② 研究開発の スピードアップ	③ 社員一人ひとりが 成長し多様な 人材が活躍できる 人的資本経営の推進	④ デジタル化推進 による業務変革と 生産性の向上
				⑤ サステナブルな 成長に向けた 財務戦略

2030 年度の目標を達成する過程として、中計最終年度である 2028 年度は売上収益 2,300 億円、営業利益 300 億円、EPS341 円、ROE8%以上、ROIC9%以上を目標とします。

そのために第七次中計では、3 つの重点テーマと 5 つの経営基盤の強化を推進し、医薬品、機能食品の両事業で資本コストを上回る資本効率を意識した経営を行うため、ROIC を指標としてその達成を目指します。

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

- **自社創薬・PLCM** 核酸・低分子創薬を中心に、グローバル展開を狙える疾患・領域に経営資源を集中
特に核酸は、DMDおよびDMD以外の疾患に注力し、2035年までにはDMD以外の疾患について上市を目指す
- **導入** 自社創薬と同等に注力
- **販売** グローバルマーケティングを基本とし、各国ごとに導出・自販などの最適な進め方を検討・推進することで、各リージョンで早期に製品を立ち上げ、シェアを拡大

医薬品事業セグメント定量目標

	2028年度
売上収益	2,030億円
営業利益	282億円
ROIC	9%以上

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

それでは医薬品事業、機能食品事業ごとに事業戦略について概要を説明します。

医薬品事業では、自社創薬・導入・PLCMの3本柱により年平均2品目以上の新製品を上市し、パテントクリフへの対応を優先した事業展開を行います。

医薬品セグメントでは、2028年度に売上収益2,030億円、営業利益282億円、ROIC9%以上を目標とします。

事業戦略	高品質で独自性の高い高付加価値の素材および最終製品の提供による、安定的な高収益体質への転換
-------------	---

- **B to B 事業** 食品ロス削減が注目され、需要が高まることが期待される品質安定保存剤に注力
- **B to C 事業** スポーツサプリメント「WINZONEプロテイン」の成長をさらに加速
エイジングケアサプリメントの新製品開発によるラインアップの充実化
- **海外展開** アジア諸国をはじめとした海外への事業展開の取り組み・体制づくり

機能食品事業セグメント定量目標

	2028年度
売上収益	270億円
営業利益	18億円
ROIC	9%以上

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

機能食品事業は、B to C のスポーツサプリメントと B to B の品質安定保存剤に注力し、高品質で独自性の高い高付加価値の素材及び最終製品の提供による、安定的な高収益体質への転換を図り、2028 年度に売上収益 270 億円、営業利益 18 億円、ROIC9%以上を目標とします。

3つの重点テーマ

24

I. ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成

第七次中計期間中の成長ドライバーとして、グローバルでDMD治療薬群（CAP-1002、NS-089/NCNP-02、NS-050/NCNP-03、NS-051/NCNP-04）、国内で血液がん新製品群（ビキセオス、ピルトブルチニブ、NS-401）およびPLCM群（ガザイバの腎疾患群、フィンテブラ、ウプトラビ小児・高用量製剤）の製品を上市し、早期に市場浸透させる。

II. グローバル展開の拡大

既進出の米国、中国については製品ラインアップを強化する。
M&Aを含め英独仏を含む欧州及びその他地域の販売エリアを拡大する。

III. 継続的なパイプラインの拡充

臨床段階以降の導入品を獲得するとともに、オープンイノベーション及びAI創薬を活用して自社創薬を強化し、パイプラインを継続的に拡充する。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

続いて、第七次中計で、パテントクリフを乗り越え、その後の成長に向かって取り組む3つの重点テーマについて説明します。

「3つの重点テーマ」として、ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成では、DMD 治療薬群、血液がんの新製品群、PLCM 群の製品の着実な上市と早期市場浸透を行います。

グローバル展開の拡大では、米国、中国での製品ラインアップの強化を行い、イギリス、ドイツ、フランスなどを含む欧州やその他地域に販売エリアを拡大します。

継続的なパイプラインの拡充では、臨床段階以降の導入品を獲得するとともに、オープンイノベーションや AI 創薬の活用により自社創薬を強化し、パイプラインの拡充を推進します。

第七次中計期間中の成長ドライバーとして、DMD治療薬群、血液がん新製品群およびPLCM群の新製品を上市する。

DMD治療薬	血液がん治療薬	PLCM
<p>CAP-1002 : P3実施中</p> <p>NS-089/NCNP-02 : P2実施中</p> <p>NS-050/NCNP-03 : P1準備中</p> <p>NS-051/NCNP-04 : P1準備中</p>	<p>ビキセオス : 上市済 高リスク急性骨髄性白血病</p> <p>LY3527727 マンテル細胞リンパ腫 : 申請中 慢性リンパ性白血病 : P3実施中</p> <p>NS-401 : P1/2実施中 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍</p>	<p>ウプトラビ : 申請中 小児肺動脈性肺高血圧症</p> <p>フィンテプラ : P3実施中 CDKL5遺伝子欠損症</p> <p>ガザイバ : P3実施中 ループス腎炎 小児ネフローゼ症候群 腎症を伴わないSLE</p>

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

第七次中計期間中の成長ドライバーとして、DMD 治療薬 4 品目、血液がん治療薬 3 品目、ウプトラビ、フィンテプラ、ガザイバの適応拡大による新製品を上市します。

本計画期間内に、年平均2品目以上の新製品の発売を予定。導入品として毎年1品目以上の獲得を目指す。ビルテプゾについては、追加のP3試験を実施し、欧州・中国での承認・上市を目指す。

新製品の上市目標

	2024年度	2025年度	2026年度	2027年度	2028年度
国内	NS-87 (ビキセオス) : 高リスクAML*		NS-401 : BPDCN*	NS-089/NCNP-02 : DMD	NS-050/NCNP-03 : DMD
	LY3527727 (ビルトブルチニブ) : MCL*		ZX008 (フィンテプラ) : CDKL5遺伝子欠損症	GA101 (ガザイバ) : 腎症を伴わないSLE	NS-051/NCNP-04 : DMD
	NS-304 (ウプトラビ) : 小児PAH*		GA101 (ガザイバ) : ループス腎炎		
海外			GA101 (ガザイバ) : 小児ネフローゼ		
			CAP-1002 (米) : DMD	NS-089/NCNP-02 (米) : DMD	NS-050/NCNP-03 (米) : DMD
					NS-051/NCNP-04 (米) : DMD NS-065/NCNP-01 (欧、中) : DMD

※ 高リスクAML: 高リスク急性骨髄性白血病、MCL: マンテル細胞リンパ腫、小児PAH: 小児肺動脈性肺高血圧症、BPDCN: 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍
※ 慢性リンパ性白血病を対象としたLY3527727 (ビルトブルチニブ) については上市時期未定

スケジュールも含めた詳細な上市目標ですが、すでに臨床入りしている新製品と導入品、PLCMにより、期間中に、年平均2品目以上の新製品発売を目指します。加えて、新たな導入品の獲得にも注力し、上市品目数をさらに拡大していきます。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

なお、ビルテプソについては、追加の P3 試験を行い、中計期間中の欧州・中国での承認・上市を目指していきます。

重点テーマ I ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成

27

国内販売戦略 ～迅速かつ効率的に活動できる組織を構築し、広範な製品の市場浸透を図る～

血液領域、肺高血圧症領域、小児神経内科領域は最注力領域とし、既存製品の効能追加や、新製品発売の際には、早期の立上げを最優先にMRチャンネルとデジタルチャンネルを活用したオムニチャンネルでの活動を推進する。

血液領域

- ・ 2024年度にピキセオス、ピルトブルチニブ、2026年度にNS-401を発売予定。
(既存品：ガザイバ、デファイテリオ、ピダーザ、トリセノックス、アムルレイク、キロサイド)
- ・ 各製品の最大化を図りながら、領域No.1メーカーとしてのポジションを確立する。

肺高血圧症領域

- ・ 2024年度にウプトラビの小児の効能追加、以降も既存のウプトラビ、オプスミット、アドシルカに加えラインナップを拡大する。
- ・ ウプトラビを中心に各薬剤のポジショニングを確立させ、領域No.1メーカーとしてPH治療剤全体の最大化をはかる。

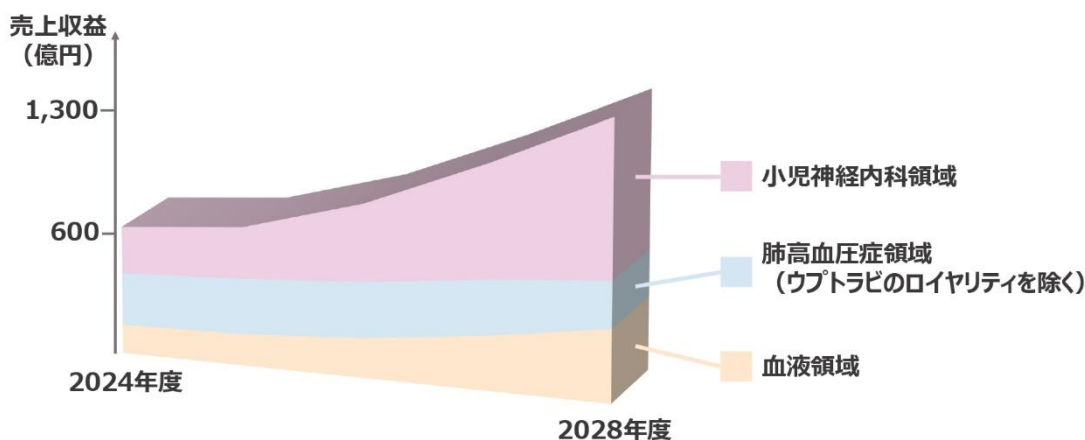
小児神経内科領域

- てんかん領域： 2024年3月にフィンテブラがレノックス・ガストー症候群の効能追加を取得。ドラベ、レノックス・ガストー症候群の患者さんへ一刻も早くフィンテブラをお届けし、必要とされる薬剤へと育成する。
- DMD領域： ビルテプソの活動によりDMD患者さんの集約施設を特定し、非専門施設から DMD 集約施設への医療連携も構築された。今後発売予定の品目にこれらの医療連携スキームを活用し、一刻も早い治療をお届けする。

続いて、国内販売戦略ですが、血液領域、肺高血圧症領域、小児神経内科領域を最注力領域とし、PLCM や新製品発売に合わせて早期の製品立ち上げを目指します。医師の働き方も変わっていく中で、MR チャンネルとデジタルチャンネルを活用したオムニチャンネルでの活動を進め、一人でも多くの患者さんに使っていただけるように製品の市場浸透を図ります。

2028年度 注力3領域 グローバル 売上収益 ⇒ 1,300億円以上を目指す

第七次中計期間中の売上収益拡大イメージ



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

血液領域は、ビキセオスや、ピルトブルチニブ、NS-401を中心に国内での販促活動を進め、肺高血圧症はウブトラビの小児の効能追加などにより、さらなる価値最大化を図ります。小児神経内科領域はフィンテプラの適応拡大に加え、CAP-1002やビルテプソにつづく核酸医薬品をグローバルで販売することで、注力3領域合計で、2028年度に売上1,300億円以上を目指します。

重点テーマⅡ グローバル展開の拡大

海外子会社の成長戦略

米国子会社 (NS Pharma, Inc)

ビルテプソに加え、他のDMD治療剤 (CAP-1002、NS-089/NCNP-02、NS-050/NCNP-03、NS-051/NCNP-04) の新発売を予定

- 迅速な製品の立ち上げ、効率的なマーケティングの実現
- 販売体制の拡充 (包括的的患者支援サービス、マーケットアクセス)
- アドボカシー活動の拡大 ⇒ 患者さん・ご家族が安心して治療を続けられる環境を整備
- メディカル活動を拡充 ⇒ 新規の細胞治療を浸透させる

中国子会社 (北京艾努愛世医薬科技有限公司、天津艾努愛世医薬有限公司)

中国でのビルテプソ、機能性食品の販売体制の整備・構築

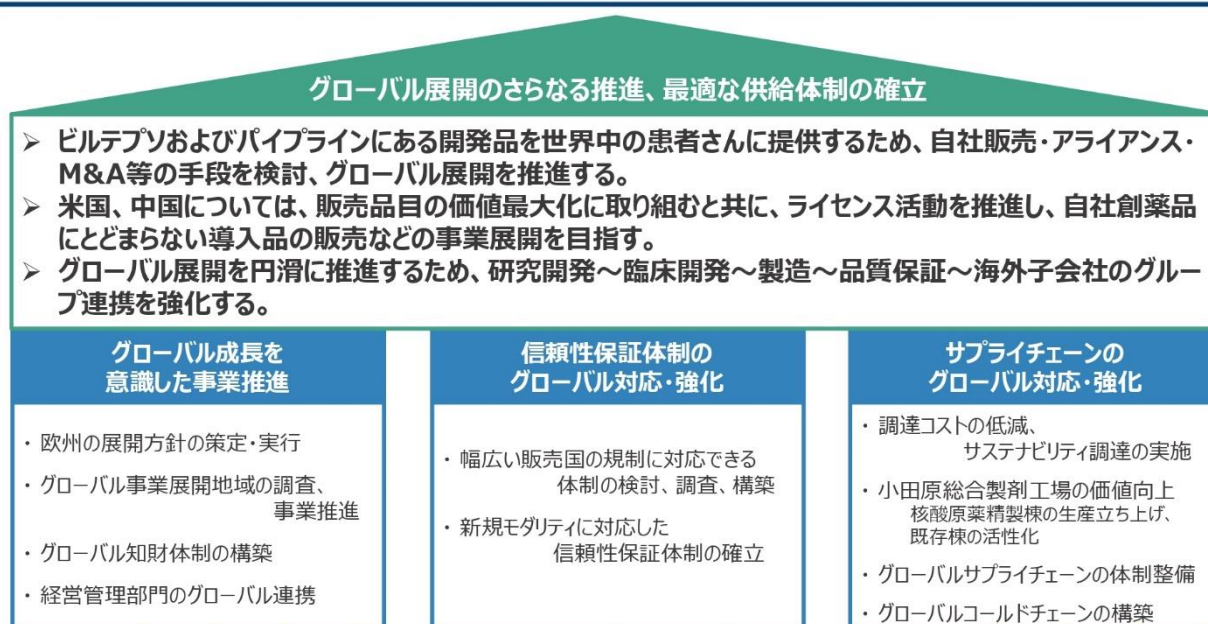
NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

重点テーマの2つ目である、グローバル展開の拡大については、米国子会社の NS Pharma においては、ビルテプソに加え、CAP-1002 をはじめとした DMD 治療剤の新発売を予定しています。これらの品目の早期立ち上げを目指し、効果的で効率的なマーケティング、患者さんを支援するサービスの充実に注力します。

中国子会社においては、ビルテプソの発売に向けた準備を進めることに加え、機能性食品の中国における販売体制構築も進めていきます。

重点テーマⅡ グローバル展開の拡大

30



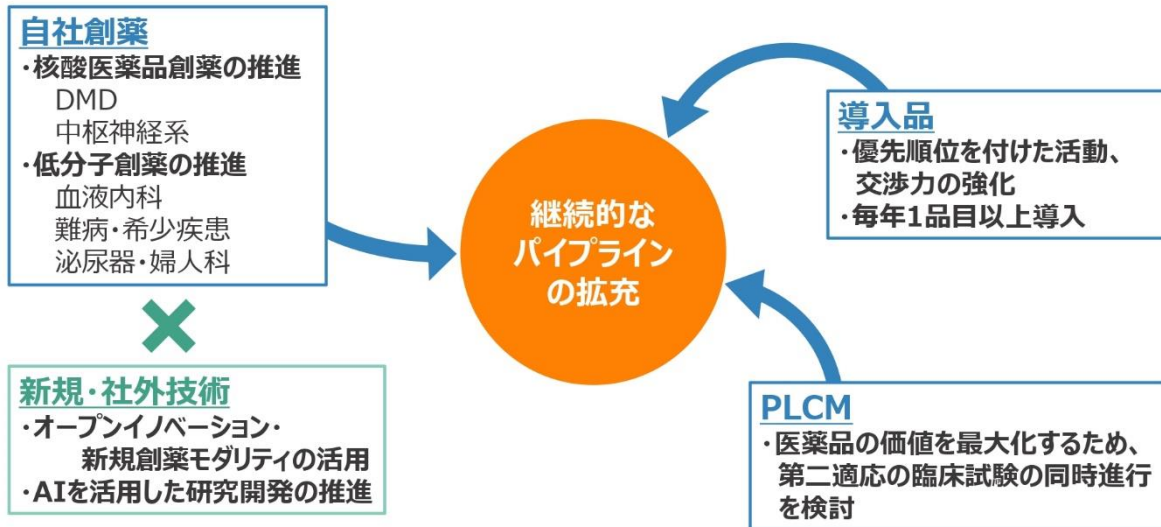
米国、中国の販売体制を強化していくことに加えて、ビルテプソやパイプラインにある品目を世界中の患者さんに提供するため、自社販売、アライアンス、M&A 等の手段を検討し、欧州等へのグローバル展開を加速していきます。

そのために、グローバル成長を意識した事業推進、信頼性保証体制およびサプライチェーンのグローバル対応、強化を進めていきます。

また、販売体制を構築している地域においては、導入品の販売も視野に入れ、ライセンス活動を推進していきます。

これらの活動により、当社がグローバルで複数の医薬品を供給、販売できる体制を確立していきます。

臨床段階以降の導入品を獲得するとともに、オープンイノベーション及びAI創薬を活用して自社創薬を強化し、パイプラインを継続的に拡充する。



3つ目の重点テーマとして、自社創薬、導入、PLCMの3本柱を軸に、継続的にパイプラインを拡充していきます。

自社創薬については、オープンイノベーションやAI創薬を活用し、自社の強みと他社の技術を組み合わせた強化に取り組んでいきます。

導入については、グローバルでの販売につながる品目を優先し、年1品目以上の導入品獲得に向けて取り組みます。

PLCMについては、第二適応に対する取り組みをこれまでよりも早期から開始し、医薬品の価値最大化に向けて取り組みます。

核酸医薬品創薬の推進

核酸医薬品は、遺伝情報に作用する



- ・ これまでアプローチ出来なかった標的に作用できる
- ・ 根本原因に対する治療を可能とする

- 原因遺伝子が同定されていても効果的な治療法のない疾患が多数存在する、中枢神経系（CNS）領域の核酸医薬品開発に取り組む。
 - ・ トリプレット・リピート病*の品目で、2026年度の臨床試験入りを目指す。
- オープンイノベーション・新規創薬モダリティを活用し、DMD領域やCNS領域において特長ある医薬品を長期的に創出し続ける。
 - ・ 核酸搭載エクソソーム、遺伝子発現増強核酸、RNA編集・RNAトランススプライシング等による核酸医薬、核酸医薬の経口剤などに取り組む。
 - ・ 核酸創薬と低分子医薬創薬の特長を組み合わせ「核酸・低分子複合体創薬」の開発に取り組む。

*トリプレット・リピート病：遺伝子中の3塩基の繰り返し配列（トリプレット・リピート）の異常伸長によりおこる遺伝性神経疾患（脆弱X症候群、ハンチントン病、球脊髄性筋萎縮症、等）。

核酸医薬品の今後の開発方針ですが、核酸医薬品は、遺伝情報に作用し、低分子や抗体ではアプローチすることが難しい標的に作用することができ、より根本原因に対する治療を可能とすることが特長になります。

当社はこれまでデュシェンヌ型筋ジストロフィーを中心に核酸医薬品の創薬に取り組んでまいりましたが、中枢神経系領域の創薬にも取り組み、2026年度の臨床試験入りを目指します。

また、核酸医薬品創薬では、特にオープンイノベーションを通じた新規創薬モダリティの活用が重要になると考えており、イギリス MINA 社との共同研究のような創薬の幅を広げていく取り組みを推進していきます。

持続可能な社会を実現するために、5つのマテリアリティ解決に向けた活動に取り組む。
 情報開示の強化のため、IRの専門部署を新設。
 環境や社会課題に対する取り組みを示し、2035年に「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして
 新しい生きるを世界に届ける会社」であるために、社会から信頼されることを目指す。

環境

- 温室効果ガス排出量削減目標（2030年度）
 Scope1+2 : ▲42%（2020年度比）
 Scope3 カテゴリー1 : ▲25%（2020年度比）
- 資源管理および資源循環
 廃プラスチック再資源化率 65%以上
 売上1億円当たりの水使用量の継続的な削減

社会

- 人権デュー・ディリジェンスの実施など、人権リスクの低減
- 公募研究助成による継続した医療への貢献

ガバナンス

- グローバル全体でのガバナンス体制強化
- リスクマネジメントの強化

情報開示による外部評価の向上、企業価値の向上につなげる

Scope1: 事業者自らによる温室効果ガスの直接排出、Scope2: 他社から供給された電気、熱・上記の使用に伴う間接排出
 Scope3: Scope1、Scope2以外の間接排出、カテゴリー1: 購入した製品・サービス

続いて、5つの経営基盤の強化について説明します。

そもそも、当社は、持続可能な社会があってはじめて存続することができます。持続可能な社会の実現に向けたサステナビリティ経営を推進し、5つのマテリアリティ解決に向けた ESG 活動に取り組めます。IR については、情報開示の強化を目的に、本年 4 月に新設した IR 専門部署を中心に、これまで以上に積極的に情報開示を行うことで、企業価値の向上につなげていきます。

創薬研究の効率化、スピードアップ

年1品目の自社品を上市できる体制の構築

- 限られた資源をどの分野にどの程度投じるかの資源配分、プロジェクトの優先順位付け
 優先順位（成功確率、収益性、注力領域、事業価値等）に基づいた投資による、バランスの取れた研究開発パイプラインのポートフォリオを実現
- 年1品目の自社品上市を実現するための体制・取り組み
 - ・合議制の意思決定会議を新設し、迅速な情報共有・課題対応、徹底した進捗管理を行う
 - ・全員起案
 - ・創薬プロセスの整理・最適化による期間短縮
- AIを活用した効率的な研究開発の推進

<イメージ>



経営基盤の強化の2つ目は、研究開発のスピードアップです。まず、創薬研究については、テーマの起案から臨床入りまでの期間の短縮と、自社品の年1品目上市が可能な体制の構築を目指します。

プロジェクトの優先順位付けや経営資源配分、意思決定会議の見直し、AIの活用等を推進します。AIの活用については、論文やDB上の膨大な疾患や症状などに関する情報を収集させ、原因と疾患をつなぐ推論の作成に活用できるよう取り組んでいきます。これまで研究員の調査、推論の作成にかかっていた時間を短縮することで、早期に研究活動の開始につなげ、創薬研究サイクルのスピードアップを図り、年1品目の自社品を上市できる体制構築に取り組んでいきます。

②研究開発のスピードアップ

36

パイプラインに応じたグローバル開発体制の柔軟な変更、各国の規制当局対応の強化、次の相も見据えた投資タイミングの早期化、頑健性のある試験計画の立案とフィージビリティ確認により、臨床開発をスピードアップする。

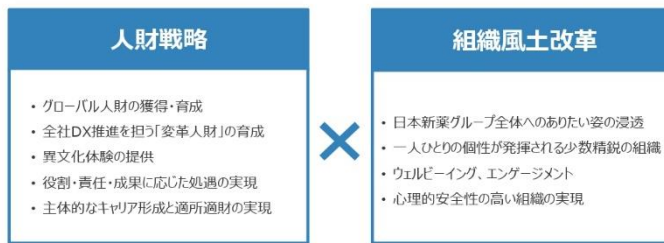
臨床開発のスピードアップ		
<p>プロジェクトマネジメント強化</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 経営全体での厳格な進捗確認 ・ メディカルドクター資格保有者の採用による海外当局との交渉力向上 ・ グローバルで柔軟に対応できる臨床開発体制の構築 ・ プロジェクトマネジメントツールの活用 ・ 開発ステップ会議の見直し、POC試験準備の前倒し 	<p>迅速承認の可能性を追求</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 早期からバイオマーカー探索を進める ・ 当局との合意形成への取り組み 	<p>成功確率の向上</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 頑健性のある臨床計画立案 ・ POC試験の立案強化 ・ 臨床試験品目の優先順位付け ・ POC取得後のパートナーリング検討 ・ 試験計画立案時期の徹底 ・ 医療技術評価（HTA）と臨床開発を並行して推進する体制構築

臨床開発のスピードアップについては、第六次中計期間に複数の臨床試験が遅延しましたが、その課題解決のため、経営全体での厳格な進捗確認、各国の規制当局対応の強化、投資タイミングの早期化といったプロジェクトマネジメント強化、迅速承認の可能性の追求、頑健性のある試験計画の立案、フィージビリティ確認を行うことによる成功確率の向上に注力することで、スピードアップを図ります。

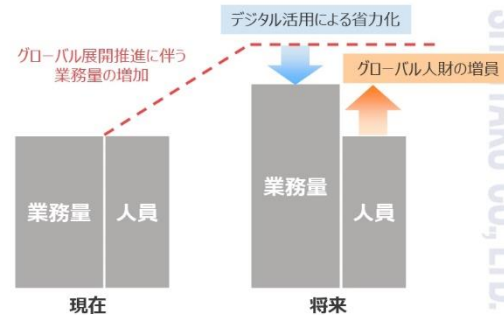
国内の人員を増加させることなく、個々のポテンシャルを最大限に引き出し、少数精鋭の個性派集団となることを目指す。

- グローバル**
 - グローバルで活躍できる人財の獲得・育成
 - 米国や中国、欧州のグローバル展開に合わせたローカル人員は増員する方針
- 国内**
 - 適所適財、若手抜擢、モチベーション向上施策の実施
 - デジタルを活用し、業務改革できる変革人財の育成

＜目標実現に向けた取り組み＞



＜人員のイメージ＞



3つ目は、人的資本経営の推進です。グローバル展開や、パイプラインの拡充を進めていくためには、社員一人ひとりが成長し多様な人財が活躍する必要があります。

グローバル展開を進めることにより、業務量は増加していきますが、個々人のポテンシャルの最大化を引き出とともに、グローバルで活躍できる人財の獲得および育成による人財戦略と組織風土改革を進め、デジタル化による省力化により、国内人員は増加させずに対応していきます。

④ デジタル化推進による業務変革と生産性の向上

デジタル技術の進歩は早く、積極的に活用するため、システムと人財育成に投資する。研究開発や販促活動において発生する課題に対し、データに基づいた迅速な対応を行う。

グローバル化を進めながらも業務効率化、生産性向上を進めなければ利益を生み出し続けることは難しい。

⇒優先すべき「DXテーマ」を定め、経営陣関与のもとで推進する。

日々の業務のやり方を変え、生産性を高めるためにはデジタル技術を積極的に活用できる「変革人財」の育成と全社員の育成を行う。

DX人財育成	成果指標 (KPI)
変革人財の育成	全社員の10%
DX推進人財の育成	全社員の25%
DX基礎知識の定着	全社員の100%

Digital for Smiles

～「デジタル」で世界の人々に「スマイル」を～

- 戦略1**
Digital for Innovation
世界の人々へ、より早くより良い製品やサービスを提供します
- 戦略2**
Digital for Operation
経営基盤を強化し、効率化した業務リソースを創造領域にシフトします
- 戦略3**
Digital for Adaptation
デジタル時代に適した組織づくりや人財育成を推進します

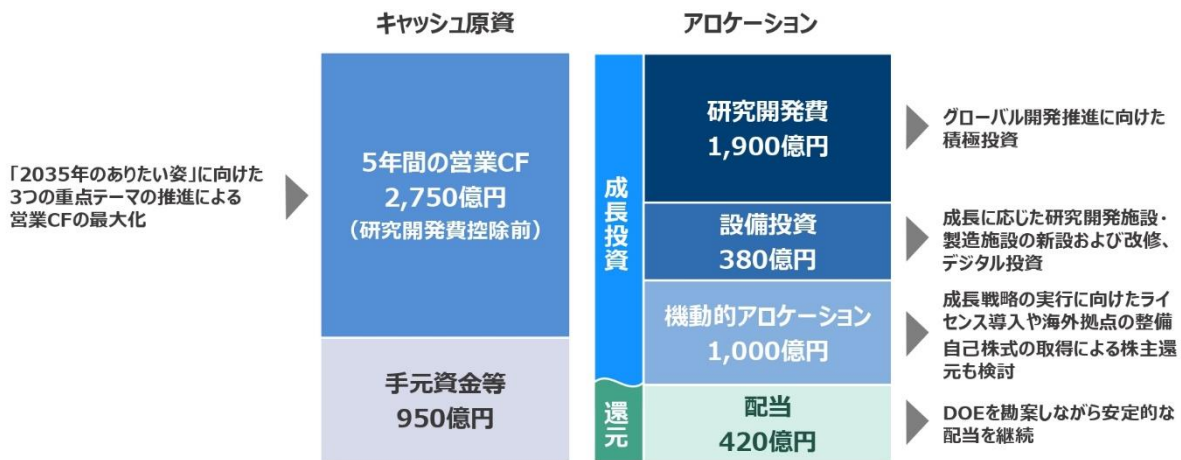
4つ目の経営基盤の強化として「デジタル化による業務変革と生産性の向上」に向けても、システムと人材育成に積極的に投資を行います。研究開発や販促活動において発生する課題に対して、データに基づいて対応することで、スピードアップや効率化を図ります。

デジタル技術に加えて、ビジネススキルも活用して課題を発見し、業務の抜本的な変革や新規ビジネスを創出できる人材を変革人材と定義して、DX人材の育成を進めていきます。あわせて、経営陣も関与したDXテーマを社内で推進することで、全社的な変革を押し進めます。

⑤サステナブルな成長に向けた財務戦略

39

キャピタル・アロケーションを策定して、財務健全性を確保しながら、持続的な成長に必要な戦略的投資を実施する。



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

5つ目は、サステナブルな成長に向けた財務戦略ですが、財務健全性を確保しながら、持続的な成長に必要な投資を積極的に行っていくことが、キャピタル・アロケーションの基本的な方針です。

研究開発投資として研究開発費は5年間で1,900億円、創薬研究所における新しい技術への対応とイノベーション創出に向けた新研究棟の建設など、設備投資は総額380億円、M&Aや導入などの成長投資、自己株式の取得も含めた機動的なアロケーションとしては上限1,000億円、株主還元としては総額420億円を考えています。政策保有株式の売却や必要に応じて借り入れも含めて財務の健全性を確保していきます。

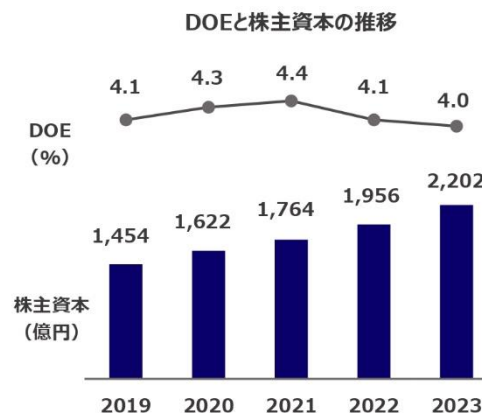
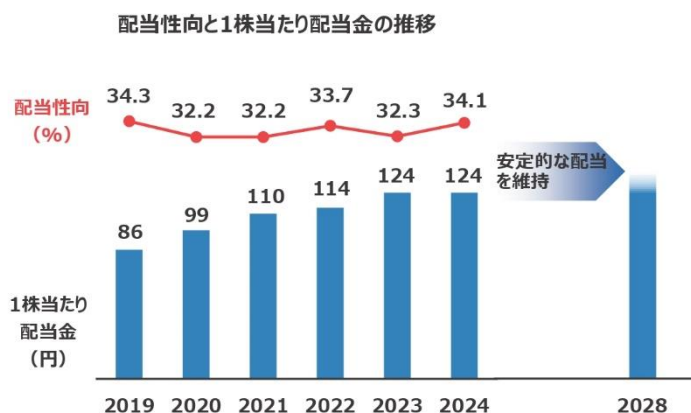
限られた経営資源を戦略的に投じて、3つの重点テーマと5つの経営基盤の強化に取り組むことで、数値目標を達成する。
2030年度に売上3,000億円規模、その先の5,000億円企業を目指す土台を作る。

	2023年度	2028年度
売上収益	1,482億円	2,300億円
営業利益	332億円	300億円
EPS	383円	341円
ROE	12.4%	8%以上
ROIC	19.3%	9%以上
為替 (対米ドル)	144.6円	140.0円

つづいて経営目標については、最終年度である2028年度に、売上収益2,300億円、営業利益300億円、EPS、341円、ROE8%以上、ROIC9%以上の達成を目指します。その上で、3つの重点テーマと5つの経営基盤の強化に取り組み、2030年度には、売上3,000億円規模、その先の5,000億円企業を目指す土台を作ります。

株主還元方針

DOE（株主資本配当率）を勘案しながら安定的な配当を継続する方針とする。



最後に、株主還元方針です。

株主資本配当率、DOE を勘案しながら、安定的な配当を継続する方針とし、株主の皆さまへの利益還元を行ってまいります。また、自己株式の取得については、機動的アロケーションの枠の中で検討してまいります。

以上で、第七次中期経営計画の説明を終わらせていただきます。

第七次5ヵ年中期経営計画説明会 Q&A (要約)

2024年5月28日開催

No.	質問内容	回答
1	<p>ビルテプソの RACER53 試験(P3 試験)のデータは現在解析中だと思うが、ステロイドの影響と、運動機能の向上および低下に不均質性があるのか。自然歴と比較した時は、このような不均質性を排除できていたのか。RACER53 試験(P3 試験)は 17 か国で実施されたグローバル試験のため、地域の広がりデータがばらついたとも考えられるかと思う。現時点で分かることを教えてほしい。</p>	<p>201 試験・202 試験は、患者層にマッチした北米患者さんの自然歴と比較している。RACER53 試験(P3 試験)は様々な国で実施しているグローバル試験で、国ごとにステロイドのレジメン*が異なっている等の背景があり、より患者さんの不均質性が増すと考える。</p> <p>*レジメン: 薬物治療における、薬剤の種類や量、期間、手順などを時系列で示した計画</p>
2	<p>将来的にビルテプソの追加試験をする場合、実施国を絞るなど不均質性を防ぐような試験デザインになるのか。</p>	<p>できるだけ不均質が起こらないように実施したいと考えている。日米では既に承認されている薬剤があり、例えばプラセボ比較試験を行う場合、患者さんの意思決定がエンロール*にどのように影響が出るのか等を考慮し、国、施設を選んでいきたい。</p> <p>*エンロール: 臨床試験への患者さんの参加</p>
3	<p>プラセボ比較試験は難しいということか。</p>	<p>具体的にプラセボ比較試験をする場合、先行して承認された薬があると、患者さんはプラセボではなく承認されている薬を使いたいと考えるため、治験参加の難易度が上がるということである。</p>
4	<p>ビルテプソの主要評価項目である床からの立ち上がり時間でプラセボとの差は出なかったが、他の評価項目では有意差が出ている等の追加情報はるか。</p>	<p>まだお示しできない状況である。</p>
5	<p>国や治療のバックグラウンドで結果が違うというのは分かるが、リージョンナルでサブグループ解析を行う可能性はあるか。あるいはもう見ているか。</p>	<p>これから見る予定にしているが、まだご案内できる状況ではない。</p>

6	<p>RACER53 試験(P3 試験)は、実薬群で TTSTAND (床からの立ち上がり時間)の速度の増加傾向が認められた一方で、プラセボ群でも同様の速度の増加傾向が認められたとの発表があった。これは実薬群とプラセボ群を比較し、実薬群でも改善傾向が見られなかったという意味なのか。或いは、有意差に至らないものの、ある程度の改善傾向があったということか。</p>	<p>リリース文の通りであるが、実薬群でも速度の増加傾向が認められ、プラセボ群でも同様に速度の増加傾向が認められたということである。</p>
7	<p>実薬群とプラセボ群の傾向の程度に違いはあったのか。</p>	<p>実薬群とプラセボ群で傾向に違いはある。どの程度違うのかということは当局との話し合いに至っていないので、現時点では非開示としたい。</p>
8	<p>結果として差が出なかったのは、プラセボが思ったより効果が出たのか、実薬の有効性が思ったより無かったのか、どちらか。</p>	<p>昨日のリリースで開示した通り、RACER53 試験(P3 試験)ではプラセボ投与群も立ち上がり時間速度の増加傾向が認められた。P2 試験の自然歴データではそのようなことはなく、速度は落ちている。これがデータ上のノイズなのかまだ分析中だが、プラセボ効果と言ってしまうのか、ステロイドが結構効いているのか、まだはっきりとは言えない状況である。</p> <p>思ったよりもプラセボが上昇傾向にある要因については、分析して調べていきたい。</p>
9	<p>現時点での分析として、実薬・プラセボの両群においてステロイドの使用方法が大きく違うという事実が確認出来ているのか。</p> <p>実薬群とプラセボ群でステロイドの使用割合、ステロイドの種類、用量の違いがあり、そのため実薬群とプラセボ群でのステロイドの強度が違うということが今の段階である程度見えているのか。或いは、あくまでも現時点で考えられる要因というだけなのか。</p>	<p>患者ごとの具体的なステロイドの使用実態は把握できており、現在分析中である。RACER53 試験(P3 試験)のプロトコル上はステロイド投与後3カ月以上経った患者さんをその使用方法等に関係なくエンロールできるが、投与開始後3カ月では短すぎたのではないかとこの考察である。ステロイドは6カ月から1年程度効果があるため、RACER53 試験(P3 試験)のノイズ(統計雑音)になっているのではないかと考えた。また、毎日投与なのか間歇投与*なのかというステロイドの使われ方は、国、施設または医師によって異なる。</p> <p>RACER53 試験(P3 試験)ではステロイド投与開始後3カ月の患者としか規定しておらず、ステロイドの効果期間を考慮しきれていなかったため、この試験のノイズになったのではないかと考える。</p> <p>*間歇(かんけつ)投与: 一定の時間をおいての断続的な投与</p>

10	NS-089/NCNP-02 は P1/2 試験を開始しており、NS-050/NCNP-03 もこれから試験が始まる。これらの試験は運動機能ではなくジストロフィンタンパクの発現を見る試験だが、ステロイドがジストロフィン発現量に影響するリスクはあるのか。	ステロイドは炎症に作用し、ジストロフィン遺伝子に直接作用するわけでは無いためジストロフィン発現量には全く関係ない。
11	ステロイドは炎症を抑えることで運動機能をブーストしているのか。	DMD 患者さんは初期に筋肉が壊れて炎症が起きて、それが線維や脂肪に変わって段々筋肉がなくなっていく。ステロイドは炎症を抑えることによって、炎症が起こって線維化が起こって筋肉が減るのを遅らせる効果があり、ステロイドはエクソスキッピング薬に比べて、患者さんの筋肉が壊れて悪くなっていく時期において早く効果を得られる。ステロイドを投与していればずっと改善するわけではなく、段々効果は落ちていく。ステロイドは筋肉が失われるのを遅らせる効果が大きい初期段階では良い治療になるが、段々効果が落ちていくためそこを支える治療法が他に必要になる。
12	<p>サレプタ社の遺伝子治療は PDUFA*の結果待ちであるが、今回の結果を踏まえて、患者さん、医師はどう考えると思うか。遺伝子治療も使いづらく、ビルテプソも RACER53 試験(P3 試験)がこのような結果であるということで、結局一番安いステロイド剤が使われる可能性が、短期的には高くなるのではないか。当局の判断が下るまで 1 年ぐらいかかると思うが、ビルテプソの売上に影響があるのではないか。まず中計よりも、今期の業績への影響を教えてください。</p> <p>*PDUFA：米国食品医薬品局（FDA）による、医薬品の承認審査の期限</p>	<p>米国ではステロイドはほぼ全ての DMD 患者さんに投与されている。RACER53 試験(P3 試験)もそうだが、ステロイドを投与されている患者さんに、ビルテプソを治療手段として追加している。我々の試験の結果をうけてステロイドに移行することはなく、既にステロイドが投与されているとご認識いただきたい。今期の業績については先般開示した通りしたところだが、医療機関の皆様には昨日リリース後にご案内を差し上げている。我々としては先行試験の結果をふまえて、ビルテプソは有用な薬剤だという話をしていきたい。できるだけこれまで通り使っていただけるよう、取り組みを行っていきたく考えている。</p> <p>日本については、昨日第一報として、先生方に話をしている。安全性は問題ないとおっしゃっていた。国内の P1/2 試験でジストロフィンタンパクの発現、運動機能の改善傾向が認められており、臨床的な効果が出ている症例が多いと学会等で発表されている。そのため、すぐにやめるということはないと医師から聞いている。現時点ではまだ大勢の医師から話を聞いていないので一概にはいえないものの、大きな影響はないと考えている。</p>

13	米国の RACER53 試験(P3 試験)について、ステロイドは試験開始前に 3 か月間使用したとのことだが、通常ステロイドはそれより長く使うのか。	既に 3 か月ステロイドを投与していた患者さんが試験に入ってくるため、そのままステロイドは使用し続ける。試験開始当時は、3 か月でステロイドの効果は頭打ちになるか、減弱すると考えていた。しかし最新の論文ではもう少し効果が長いと今になって分かった。その前提であるにご理解いただきたい。
14	今日の結果をふまえて、遺伝子治療を選択する患者さんが増えるかもしれないリスクはどう考えているのか。RACER53 試験(P3 試験)の結果発表前は、運動機能においても遺伝子治療よりビルテプソの方が充実しているというポジションが得られると考えていた。しかし、今回の結果をみるとそうはならぬそうである。今あるデータや遺伝子治療薬の添付文書に記載されるであろう内容、また遺伝子治療が 6 月にフル承認される可能性をふまえて、どのようにお考えか。	遺伝子治療が 6 月にフル承認された場合は、向こうがフル承認でこちらが迅速承認となる。その場合、どの程度の影響があるかは明確に回答できないが、影響はあるかもしれないと考えている。ただしビルテプソで容体が安定しているため、現在のビルテプソが投与されている患者さんの中で、遺伝子治療にスイッチを希望する例はない。今後の患者獲得については、患者さんにとってはフル承認となれば遺伝子治療を投与するという選択肢もありうると思うが、遺伝子治療で治験中の品目に安全性の問題があったことは米国の方は皆さん分かっている。そういったリスクもふまえ、遺伝子治療にどう向き合うかが評価されていくと考える。
15	RACER53 試験(P3 試験)の患者さんのステロイドの投与履歴はデータとしてお持ちか。データが無くて分析できないということはないか。	一例一例、患者さんがどういう薬剤を使っているかは全てデータとして残っている。薬剤の種類も、毎日投与なのか、間歇投与なのかも分かっている。
16	ビルテプソについて、ベストケースは RACER53 試験(P3 試験)データの詳細解析で本承認を貰うことである。本承認をもらえなかった場合は、欧州と中国向けの P3 試験が、米国の P3 試験を兼ねるのか。	今後の詳細データの分析結果次第では、ベストケースとして、追加試験なしでこのデータで承認される可能性もゼロではない。P3 試験を新たに実施するのか、またそのプロトコルはどうするのか、患者層はどのようなのかについては、今後明らかになる解析データと当局との交渉次第であり、これからの議論になっていく。
17	ClinicalTrials.gov [*] 上では RACER53 試験(P3 試験)は 2023 年 10 月に試験終了となっていたが、試験結果発表が今回の中計のタイミングとなった経緯は。 [*] ClinicalTrials.gov: 米当局による、治験及び臨床研究に関するデータベース	今年の 4 月末に試験結果を確認し、当局に速報として出した。リリースをするに当たり、日米の当局と開示内容について相談をしていた。両当局との相談の結果この内容で開示しようという準備が出来て、昨日の開示に至った。
18	当局と 4 月末くらいに情報の共有が始まったとすると、FDA とのミーティングの日程などももう決まっているのではないかと思う。TypeA、B 等、どういうタイプのミーティングをいつ頃するのかというのが概ね見えているのか。	当局からは、「まずデータ分析をきちんとして、それを基に会議を設定してほしい。」と言われている。

19	ミーティングを持つための解析がまだ出来ていないので日程の打診が出来ていないということか。	そうである。現在進めているデータ分析がきちんと終わってから、こういう方向性で話をしようと社内で決め、日程を設定する。
20	第六次中計の振り返りとなるが、自社創製のエクソンスキッピング薬の試験の遅れは残念だった。第七次中計では課題への対応策として、臨床試験のスピードアップや当局対応などしていくということだが、既に具体的な手を打っているのか。あるいはこれからなのか。状況を教えてほしい。	既に手を打っている。このような課題は十分認識しており、今回説明した、人財の獲得、当局との交渉力の改善、意思決定の仕組みの変更などに着手している。
21	メディカル等の専門的な人材の外部からの登用可能性はあるか。	その可能性はある。
22	キャッシュフローに示してある5年間累計の研究開発費1,900億円はキャッシュフローベースだと思うが、PLにヒットする研究開発費はどのくらいを考えているか。	研究開発費1,900億円はPLベースの5年間累計の総額と考えてもらえばよい。研開費の大きなものは、核酸医薬の臨床試験に係る費用である。NS-089/NCNP-02、NS-050/NCNP-03、NS-051/NCNP-04に係る費用に加え、ビルテプソの追加P3試験の費用も含まれている。
23	PLベースということであれば、5年間累計の研究開発費は今期計画の研究開発費の水準よりかなり大きいですが、どのようなペースで増加していくのか。	年度ごとの製品上市予定のスライドにもあるように、エクソンスキッピング薬が第七次中計期間後半に上市を予定されているが、それらを上市するために必要な研究開発費が2025年度、2026年度に多く入っていると理解いただきたい。

24	<p>中計に絡む部分であるが、CAP-1002 が計画値に相当含まれているように見えるし、ビルテプソも撤退は無いと思われる数字が入っているのではないかと思う。ビルテプソが米国で販売できなくなる可能性があるとするほどの程度考えているのか、および、CAP-1002 の P3 試験の結果が振るわなかった場合についてはどう考えているか。</p>	<p>ビルテプソが市場から撤退する可能性がゼロと言えないことは、ご理解いただきたい。とはいえ、昨日の開示の通り、安全性に問題が無いことは RACER53 試験 (P3 試験)結果から確認した。また、分析は必要だが、今後、層別解析で良いものがあれば、この患者層には効果があるというような説明ができると考えている。先ほど P2 試験の結果もご紹介したが、先行試験の結果からも、治療を必要としている患者さんから求められている薬剤であると自信をもっている。そういったことを踏まえ、前向きに当局と交渉を進めていきたいと考えている。</p> <p>万が一、市場から撤退となった場合は中計の中身も変わってくるので、必要な時期に計画を修正せざるを得ない。</p> <p>CAP-1002 の P3 試験のリードアウトが今年の年末に控えているが、カプリコール社は、P3 試験の結果が主要評価項目を達成しなくとも何とか承認に持って行く、と考えているようだ。DMD 領域では各社、各品目で望ましい試験結果が出せておらず、薬の効果を検証するのが難しい疾患領域であるということは当局も分かっており、医師からも同様に、検証の難しさをご理解いただいている。P3 試験結果がダメでも他の試験での有効性を示唆できるデータがあれば、それに基づいて当局に受け入れてもらえるのではないのかと考える。CAP-1002 の開発もうまく行かなかった場合、自社内に無いものは外から獲ってくるしかないため、通常の事業開発や、あるいは M&A に取り組まなければならないと認識している。</p>
25	<p>ウプトラビの特許切れについて、小児延長 6 か月は問題なくできると思うのだが、さらに追加で何か用途特許などで延長の可能性も追求しているのか。</p>	<p>検討はしたが、ウプトラビに限って言えば、特許延長に関するウルトラ C は無いとご認識いただきたい。</p>
26	<p>中計を見ると、ウプトラビの独占期間が終わっても利益が出るように見える。CAP-1002 とビキセオスは事業計画に含まれていると思うが、具体的に一番利益に貢献するのはどの製品か。</p>	<p>CAP-1002 は遺伝子の変異のタイプに関係なく全ての DMD 患者さんに使えるため、元々市場が大きい。どちらかという歩行可能な患者さんより歩行不能な患者さんの上腕機能・心筋の改善・維持に使えるため、高年齢の DMD 患者さんに広く使えるイメージで考えていただければと思う。その意味では、各エクソヌスキッピング薬で DMD 患者全体の数%を積み上げていくよりは、ポテンシャルがある薬剤だと考えている。</p>

27	中計全体のストラクチャーとしては、CAP-1002 の数値がかなり反映されているのか。売上グラフ中の小児神経内科領域は、要はビルテプソと CAP-1002 か。ビルテプソは日米だけの数字か。	スライド 28（重点テーマI ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成 第七次 中計期間中の売上収益拡大イメージ）が、領域ごとのイメージである。ビルテプソについてはグラフの 2028 年度に中国・欧州の売上予測を入れている。2028 年度は（日米に加え）欧州・中国、その他のエクソンスキッピング薬が含まれる。
28	ただ、金額的に言うと CAP-1002 が多く含まれるか。	そうである。
29	CAP-1002 の P3 試験について、P3 試験がうまくいなくても P2 試験の結果で申請すると、先ほどご回答いただいた。P3 のプラセボ比較試験で、患者背景が不均質であること等により成功確率が低下してしまうリスクはあるか。P2 のプラセボ比較試験に成功しており、P3 試験も成功できるのではないか。また、患者さんも年齢が進行しているため、ノイズも薄まっているのではないか。	P2 試験と P3 試験で試験デザインは同一であり、参加患者数がより大規模なのが P3 試験である。当社も試験の再現性への期待から P3 試験は成功するだろうと考え、カプリコール社と販売提携契約をした。
30	CAP-1002 の P3 試験について、患者背景の不均質性については大丈夫そうか。	憶測にはなるが、先程示したように低年齢層では割とバラツキがあるが、歩行不能まで症状が進んでいる患者さんについてはある程度そのファクターは均一になっているのではないかと考える。他にもファクターはあるが、その中の一つのファクターについてはそうだと考えている。
31	どの程度株価について議論しているのか。今回の発表を受けて恐らく PBR1 倍割れすることについて、取締役会で議論したか。	毎回の取締役会で、株価の軟調の状況と原因、どのように企業価値を上げていくか、どのように伝えていくかについて議論している。先週の金曜日（2024 年 5 月 24 日）に譲渡制限付株式報酬制度を社内取締役に導入することを決議し、皆様にご案内している。これまで以上に我々が株主様と同じ目線をもち、同じ株価を見ながら経営をしていくという気持ちをより一層高めるために株式報酬制度を導入した。そのように一つずつ株価に対して手を打っていること、議論をしていることをお伝えしたい。