

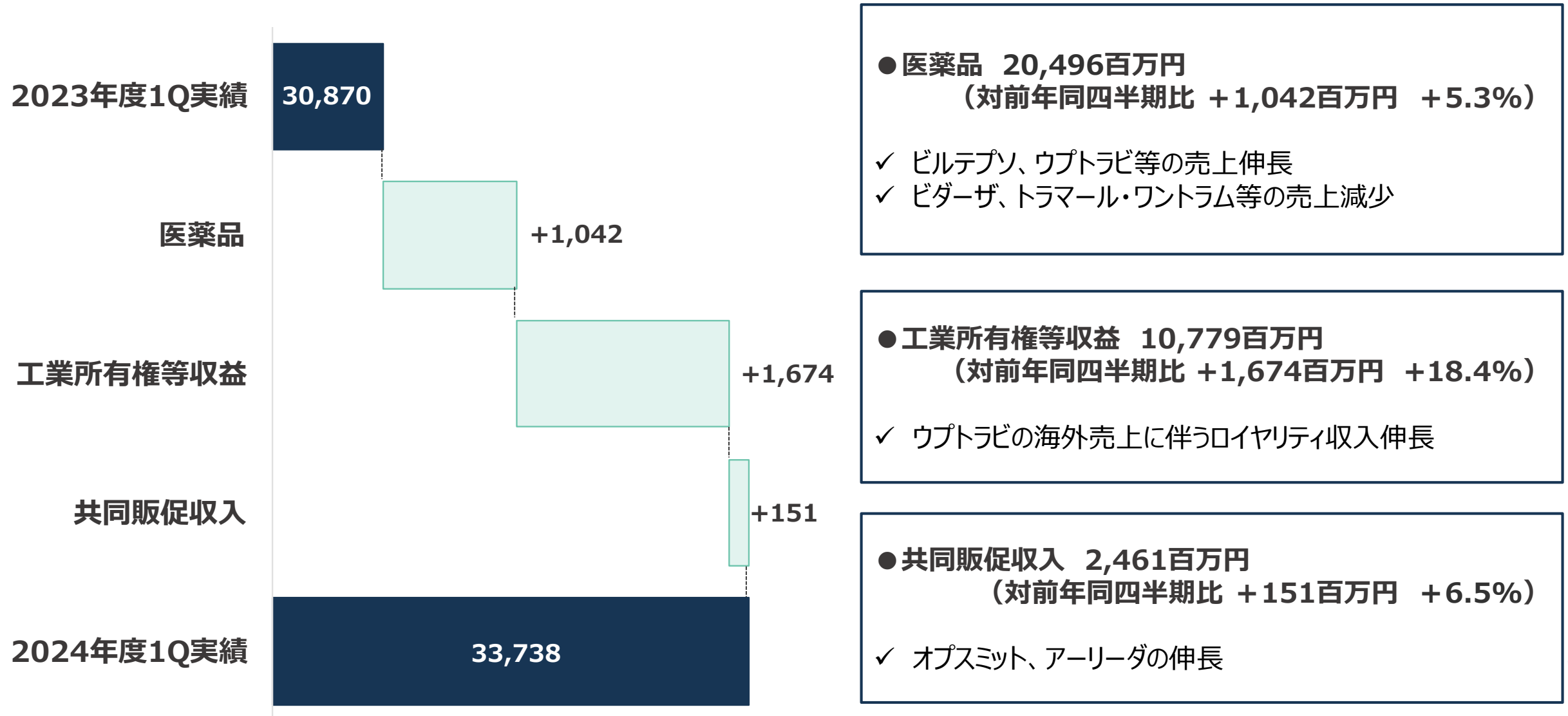
# 2024年度 第1四半期 決算説明会

2024年8月7日  
日本新薬株式会社

# 2024年度 第1四半期概要

| (百万円)                 | 2023年度1Q |         | 2024年度1Q |         | 差異       | 増減率      |
|-----------------------|----------|---------|----------|---------|----------|----------|
|                       | 実績       | 売上比     | 実績       | 売上比     |          |          |
| 売上収益                  | 37,012   | 100.0%  | 39,131   | 100.0%  | +2,118   | +5.7%    |
| （医薬品）                 | (30,870) | (83.4%) | (33,738) | (86.2%) | (+2,868) | (+9.3%)  |
| （機能食品）                | (6,142)  | (16.6%) | (5,393)  | (13.8%) | (△749)   | (△12.2%) |
| 売上原価                  | 12,962   | 35.0%   | 12,636   | 32.3%   | △326     | △2.5%    |
| 販売費及び一般管理費            | 8,418    | 22.7%   | 9,221    | 23.6%   | +803     | +9.5%    |
| 研究開発費                 | 5,911    | 16.0%   | 7,497    | 19.2%   | +1,586   | +26.8%   |
| その他の収益                | 1,572    | 4.2%    | 1,507    | 3.9%    | △64      | △4.1%    |
| （為替差益）                | (1,422)  | (3.8%)  | (1,211)  | (3.1%)  | (△210)   | (△14.8%) |
| その他の費用                | 129      | 0.3%    | 204      | 0.5%    | +74      | +58.0%   |
| 営業利益                  | 11,163   | 30.2%   | 11,078   | 28.3%   | △85      | △0.8%    |
| 金融収益                  | 298      | 0.8%    | 363      | 0.9%    | +65      | +21.8%   |
| 金融費用                  | 21       | 0.1%    | 31       | 0.1%    | +9       | +42.0%   |
| 税引前四半期利益              | 11,440   | 30.9%   | 11,411   | 29.2%   | △29      | △0.3%    |
| 法人所得税費用等              | 2,690    | 7.3%    | 1,146    | 2.9%    | △1,544   | △57.4%   |
| 親会社の所有者に帰属する<br>四半期利益 | 8,749    | 23.6%   | 10,264   | 26.2%   | +1,514   | +17.3%   |

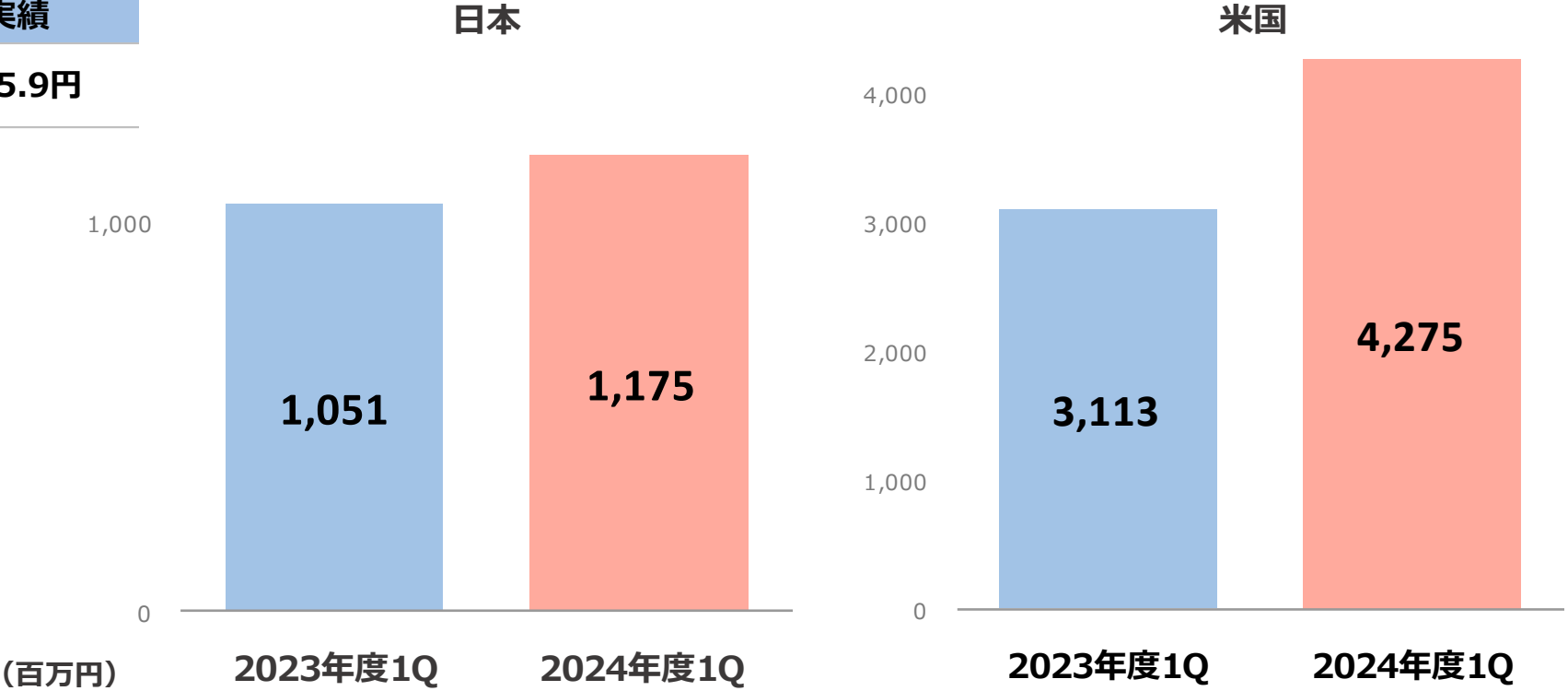
# 医薬品売上収益の内訳



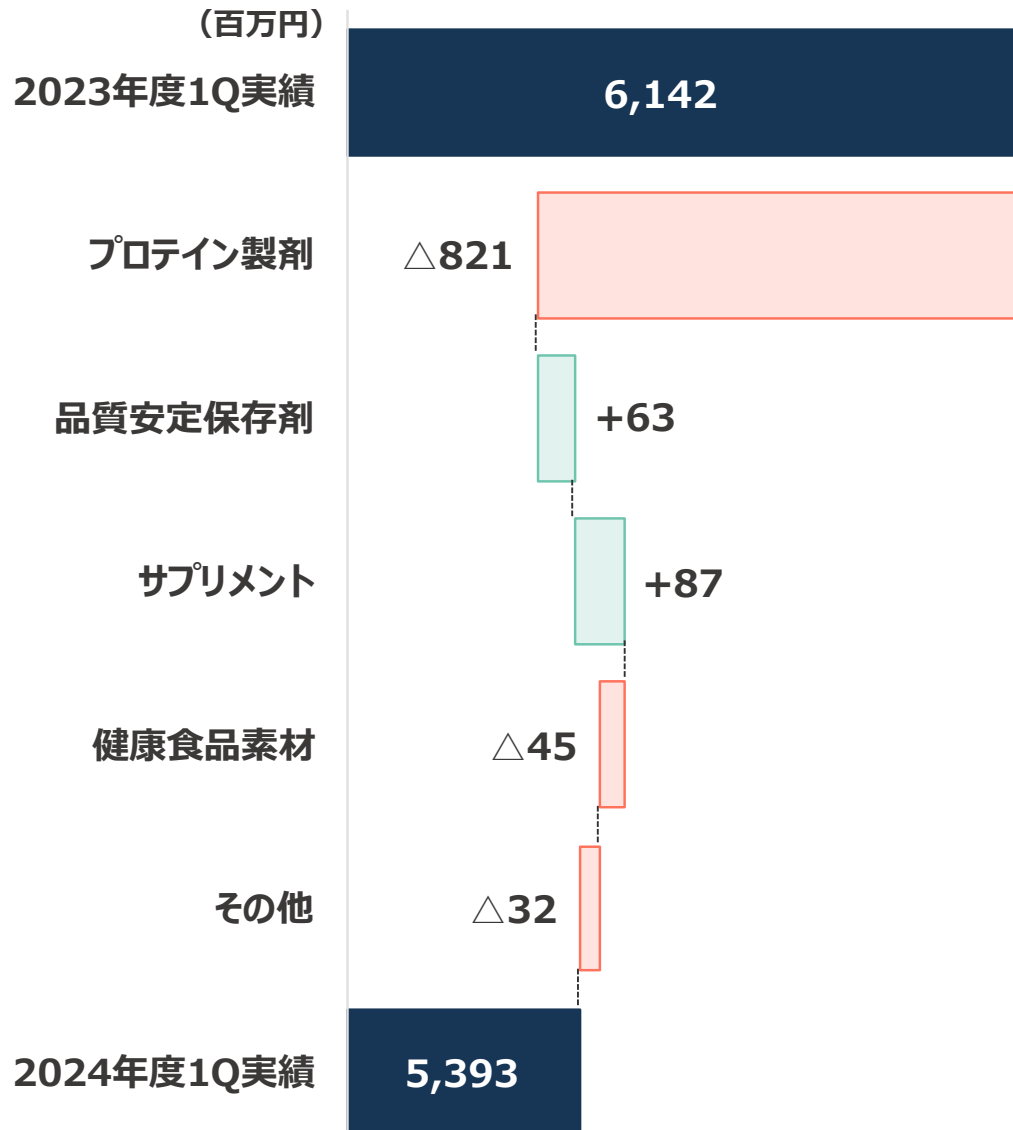
# ビルテプソの売上

| (百万円) |    | 2023年度1Q<br>実績 | 2024年度1Q<br>実績 | 差異     | 増減率    |                                                      |
|-------|----|----------------|----------------|--------|--------|------------------------------------------------------|
| ビルテプソ | 日本 | 1,051          | 1,175          | +124   | +11.8% | ✓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 | 3,113          | 4,275          | +1,162 | +37.3% | ✓投与患者及び投与希望患者数は増加中<br>✓国際共同第Ⅲ相試験（RACER53 Study）追加解析中 |
|       | 計  | 4,165          | 5,450          | +1,285 | +30.9% |                                                      |

| 為替   | 2023年度1Q<br>実績 | 2024年度1Q<br>実績 |
|------|----------------|----------------|
| 1USD | 137.5円         | 155.9円         |



# 機能食品売上収益の内訳



●プロテイン製剤 3,463百万円  
(対前年同四半期比 △821百万円 △19.2%)

✓ 販売価格の下落

●品質安定保存剤 800百万円  
(対前年同四半期比 +63百万円 +8.6%)

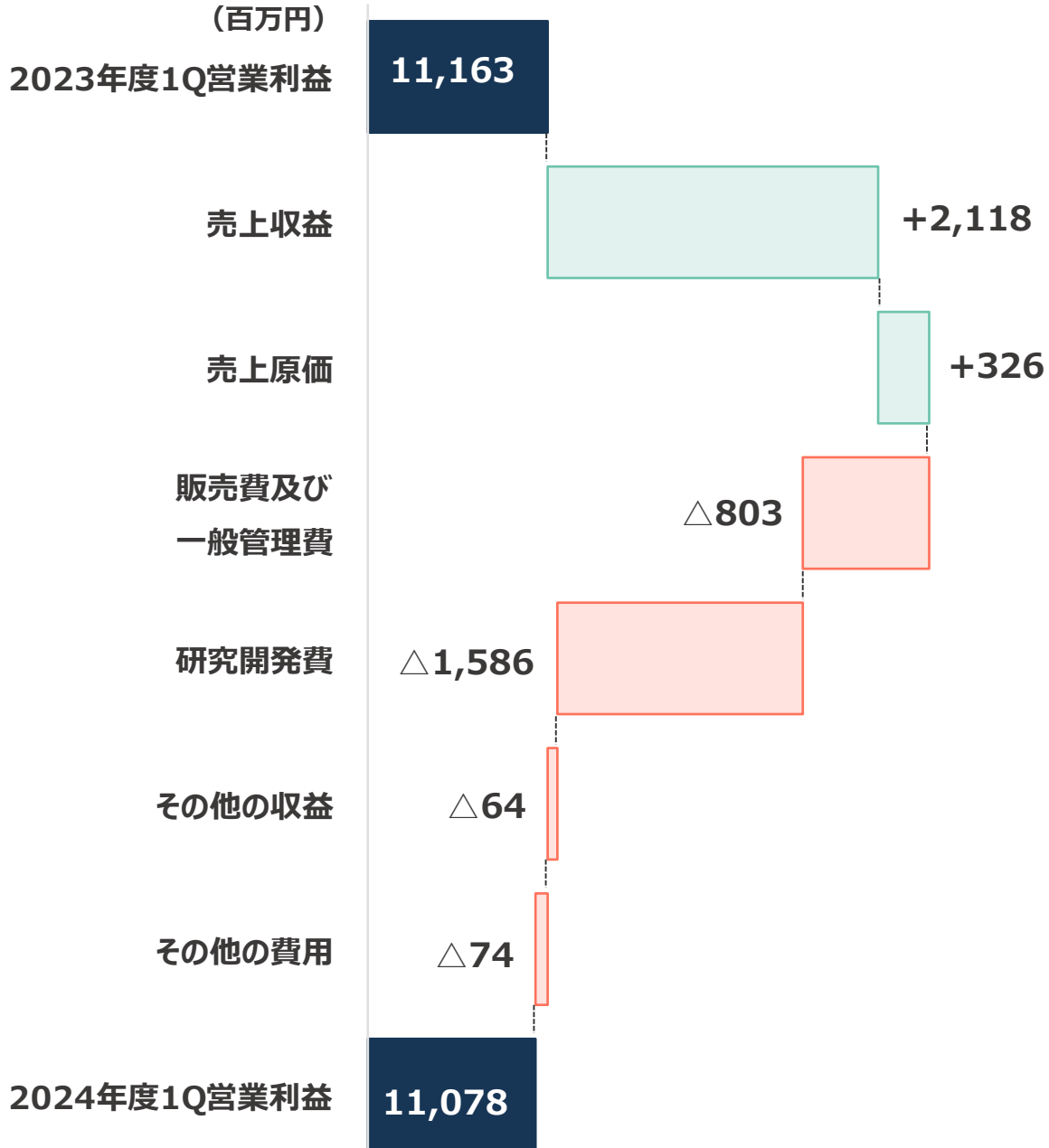
✓ 観光や行楽が活発になり外食関係の消費が回復

●サプリメント 552百万円  
(対前年同四半期比 +87百万円 +18.8%)

✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長

●健康食品素材 260百万円  
(対前年同四半期比 △45百万円 △14.8%)

# 営業利益



●売上収益 39,131百万円  
(対前年同四半期比 +2,118百万円 +5.7%)

✓ 工業所有権等収益やビルテプソ米国売上が増加

●売上原価 12,636百万円  
(対前年同四半期比 △326百万円 △2.5%)  
原価率：2.7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改善

●販管費 9,221百万円  
(対前年同四半期比 +803百万円 +9.5%)

✓ NS Pharma販促費用の増加  
✓ ウプトラビ販促活動委託料の増加

●研開費 7,497百万円  
(対前年同四半期比 +1,586百万円 +26.8%)

✓ 治験薬等の製造費用の増加

予想損益計算書（連結）

| (百万円)                 | 2023年度         |           | 2024年度         |         | 上期予想         | 年度予想      |
|-----------------------|----------------|-----------|----------------|---------|--------------|-----------|
|                       | 1Q実績           | 年度実績      | 1Q実績           | 対上期進捗   |              |           |
| 売上収益                  | 37,012         | 148,255   | 39,131         | 51.6%   | 75,800       | 154,000   |
| （医薬品）                 | (30,870)       | (125,105) | (33,738)       | (51.7%) | (65,300)     | (132,500) |
| （機能食品）                | (6,142)        | (23,150)  | (5,393)        | (51.4%) | (10,500)     | (21,500)  |
| 売上原価                  | 12,962         | 50,234    | 12,636         |         | 25,400       | 51,000    |
| 販売費及び一般管理費            | 8,418          | 34,959    | 9,221          |         | 18,600       | 38,700    |
| 研究開発費                 | 5,911          | 31,676    | 7,497          |         | 16,800       | 32,400    |
| その他の収益                | 1,572          | 3,163     | 1,507          |         | 350          | 500       |
| その他の費用                | 129            | 1,252     | 204            |         | 350          | 400       |
| 営業利益                  | 11,163         | 33,295    | 11,078         | 73.9%   | 15,000       | 32,000    |
| 金融収益                  | 298            | 650       | 363            |         | 250          | 600       |
| 金融費用                  | 21             | 329       | 31             |         | 50           | 100       |
| 税引前四半期利益              | 11,440         | 33,616    | 11,411         | 75.1%   | 15,200       | 32,500    |
| 法人所得税費用等              | 2,690          | 7,764     | 1,146          |         | 1,700        | 3,500     |
| 親会社の所有者に帰属する<br>四半期利益 | 8,749          | 25,851    | 10,264         | 76.0%   | 13,500       | 29,000    |
| 為替                    | 2023年度1Q<br>実績 |           | 2024年度1Q<br>実績 |         | 2024年度<br>想定 |           |
| 1USD                  | 137.5円         |           | 155.9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 |         | 年度差異   | 年度増減率 |
|----------|--------|---------|--------|---------|--------|-------|
|          | 1Q実績   | 年度実績    | 1Q実績   | 年度予想    |        |       |
| 医薬品      | 19,456 | 76,143  | 20,496 | 81,300  | +5,157 | +6.8% |
| 工業所有権等収益 | 9,104  | 40,304  | 10,779 | 42,100  | +1,796 | +4.5% |
| 共同販促収入   | 2,310  | 8,658   | 2,461  | 9,100   | +442   | +5.1% |
| 医薬品合計    | 30,870 | 125,105 | 33,738 | 132,500 | +7,395 | +5.9% |



# 機能食品売上収益予想の内訳

| (百万円)   | 2023年度 |        | 2024年度 |        | 年度差異   | 年度増減率  |
|---------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|
|         | 1Q実績   | 年度実績   | 1Q実績   | 年度予想   |        |        |
| プロテイン製剤 | 4,284  | 15,600 | 3,463  | 13,000 | △2,600 | △16.7% |
| 品質安定保存剤 | 736    | 3,105  | 800    | 3,200  | +95    | +3.1%  |
| サプリメント  | 464    | 1,905  | 552    | 3,100  | +1,195 | +62.7% |
| 健康食品素材  | 306    | 1,248  | 260    | 1,100  | △148   | △11.9% |
| その他     | 349    | 1,290  | 316    | 1,100  | △190   | △14.7% |
| 機能食品合計  | 6,142  | 23,150 | 5,393  | 21,500 | △1,650 | △7.1%  |

# 研究開発の進捗状況

直近1年間のR&Dアップデート（1/2）

赤字：2024年5月14日以降のアップデート

| 進捗                       | 開発品目<br>(一般名)                           | 製品名    | 適応症、内容等                                   | 時期          |
|--------------------------|-----------------------------------------|--------|-------------------------------------------|-------------|
| 発売                       | ZX008<br>(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     |
| 発売                       | NS-87<br>(daunorubicin /<br>cytarabine) | ビキセオス  | 高リスク急性骨髄性白血病                              | 2024年5月     |
| 承認                       | LY3527727<br>(ピルトブルチニブ)                 | ジャイパーカ | 他のBTK 阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は<br>難治性のマントル細胞リンパ腫 | 2024年6月     |
| 申請                       | NS-304<br>(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                   | GA101<br>(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<br>(プロギジルセン)             | —      | デュシェンヌ型筋ジストロフィー                           | 2024年2月     |
|                          | NS-229                                  | —      | 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症                            | 2024年6月     |
| 導入<br>(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<br>(日本イーライリリー社) | LY3527727<br>(ピルトブルチニブ)                 | ジャイパーカ | マントル細胞リンパ腫<br>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<br>慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群                  | —           |

# 直近1年間のR&Dアップデート（2/2）

赤字：2024年5月14日以降のアップデート

| 進捗                        | 開発品目<br>(一般名)               | 製品名   | 適応症、内容等                                                                                      | 時期           |
|---------------------------|-----------------------------|-------|----------------------------------------------------------------------------------------------|--------------|
| 速報発表                      | NS-065/NCNP-01<br>(ビルトラルセン) | ビルテプソ | 国際共同第Ⅲ相試験（RACER53 Study）                                                                     | 2024年5月      |
| 学会発表                      | NS-065/NCNP-01<br>(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-089/NCNP-02<br>(ブロギジルセン) | —     | 非臨床データ：Molecular Therapy Nucleic Acids                                                       | 2023年10月     |
| オーファンドラッグ指定               | NS-089/NCNP-02<br>(ブロギジルセン) | —     | デュシェンヌ型筋ジストロフィー                                                                              | 2023年12月（欧州） |
| 希少疾病用医薬品指定                | NS-401<br>(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<br>(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<br>核酸医薬の創製を目的とした研究提携                                              | 2024年4月      |

# 参考資料

# 医薬品売上収益の内訳

|             |                                          |                |                |          | (百万円)        |
|-------------|------------------------------------------|----------------|----------------|----------|--------------|
| 製品名         | 薬効                                       | 2023年度<br>1Q実績 | 2024年度<br>1Q実績 | 増減率      | 2024年度<br>予想 |
| ビルテプソ       |                                          | 4,165          | 5,450          | +30.9%   | 20,600       |
| (内. 日本)     | デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤                       | (1,051)        | (1,175)        | (+11.8%) | (4,600)      |
| (内. 米国)     |                                          | (3,113)        | (4,275)        | (+37.3%) | (16,000)     |
| ウプロラビ       | 肺動脈性肺高血圧症治療剤<br>慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤          | 3,255          | 3,855          | +18.4%   | 15,400       |
| ビダーザ        | 骨髄異形成症候群治療剤<br>急性骨髄性白血病治療剤               | 2,871          | 1,462          | △49.1%   | 4,800        |
| ガザイバ        | CD20陽性の濾胞性リンパ腫治療剤<br>CD20陽性の慢性リンパ性白血病治療剤 | 1,220          | 1,254          | +2.8%    | 5,100        |
| トラマール・ワントラム | がん疼痛・慢性疼痛治療剤                             | 1,104          | 778            | △29.5%   | 2,700        |
| デファイテリオ     | 肝類洞閉塞症候群治療剤                              | 631            | 709            | +12.4%   | 2,300        |
| シアリス        | 勃起不全（ED）治療剤                              | 654            | 647            | △1.1%    | 2,700        |
| ザルティア       | 前立腺肥大症に伴う排尿障害改善剤                         | 614            | 493            | △19.6%   | 1,600        |
| アドシルカ       | 肺動脈性肺高血圧症治療剤                             | 631            | 480            | △23.9%   | 1,700        |
| エリガス        | アレルギー性鼻炎治療剤                              | 334            | 281            | △15.7%   | 2,100        |
| 共同販促収入      |                                          | 2,310          | 2,461          | +6.5%    | 9,100        |
| 工業所有権等収益    |                                          | 9,104          | 10,779         | +18.4%   | 42,100       |
| 医薬品合計       |                                          | 30,870         | 33,738         | +9.3%    | 132,500      |

# 機能食品売上収益の内訳

|         |          |        |          |        |      |         | (百万円)        |
|---------|----------|--------|----------|--------|------|---------|--------------|
|         | 2023年度1Q |        | 2024年度1Q |        | 差異   | 増減率     | 2024年度<br>予想 |
|         | 実績       | 売上比    | 実績       | 売上比    |      |         |              |
| プロテイン製剤 | 4,284    | 69.7%  | 3,463    | 64.2%  | △821 | △ 19.2% | 13,000       |
| 品質安定保存剤 | 736      | 12.0%  | 800      | 14.8%  | +63  | +8.6%   | 3,200        |
| サプリメント  | 464      | 7.6%   | 552      | 10.3%  | +87  | +18.8%  | 3,100        |
| 健康食品素材  | 306      | 5.0%   | 260      | 4.8%   | △45  | △ 14.8% | 1,100        |
| その他     | 349      | 5.7%   | 316      | 5.9%   | △32  | △ 9.2%  | 1,100        |
| 機能食品合計  | 6,142    | 100.0% | 5,393    | 100.0% | △749 | △12.2%  | 21,500       |

# 財政状況

| (百万円)   | 2023年度<br>期末実績 | 2024年度<br>1Q実績 | 差異     |         | 2023年度<br>期末実績 | 2024年度<br>1Q実績 | 差異     |
|---------|----------------|----------------|--------|---------|----------------|----------------|--------|
| 資産      | 263,404        | 265,828        | +2,423 | 負債      | 42,870         | 38,365         | △4,504 |
| (流動資産)  | 164,285        | 159,973        | △4,311 | (流動負債)  | 37,336         | 32,826         | △4,510 |
| (非流動資産) | 99,119         | 105,854        | +6,734 | (非流動負債) | 5,533          | 5,539          | +5     |
|         |                |                |        | 資本      | 220,534        | 227,462        | +6,928 |
| 合 計     | 263,404        | 265,828        | +2,423 | 合 計     | 263,404        | 265,828        | +2,423 |

= 資産の部 =

|               |         |
|---------------|---------|
| 現金及び現金同等物     | △ 3,621 |
| 無形資産          | + 4,316 |
| その他の金融資産（非流動） | + 2,016 |

= 負債・資本の部 =

|              |         |
|--------------|---------|
| 営業債務及びその他の債務 | △ 3,057 |
| その他の流動負債     | + 1,684 |
| 利益剰余金        | + 6,088 |



# パイプライン (1/2)

| 開発段階     | 開発品目<br>(一般名)               | オリジン   | 申請区分       | 適応症                                       | スケジュール                    | 地域    |
|----------|-----------------------------|--------|------------|-------------------------------------------|---------------------------|-------|
| 発売<br>PⅢ | NS-065/NCNP-01<br>(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                           | —                         | 日本・米国 |
| 発売準備中    | LY3527727<br>(ピルトブルチニブ)     | アライアンス | 新成分        | 他のBTK 阻害剤に抵抗性又は不耐容の<br>再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫 | 承認：2024年6月                | 日本    |
| 申請中      | NS-304<br>(セレキシパグ)          | 自社     | 新効能<br>新用量 | 小児肺動脈性肺高血圧症                               | 試験終了：2025年度<br>申請：2024年4月 | 日本    |
| PⅢ       | ZX008<br>(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<br>(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<br>全身性エリテマトーデス                    | 申請予定：2027年以降              | 日本    |
|          | CAP-1002<br>(deramiocel)    | 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<br>(ピルトブルチニブ)     | アライアンス | 新効能        | マントル細胞リンパ腫                                | —                         | 日本    |
|          |                             |        |            | 慢性リンパ性白血病                                 | —                         | 日本    |

※スケジュールにはjRCTまたはClinical Trials.govの試験終了時期等を記載

# パイプライン (2/2)

| 開発段階            | 開発品目<br>(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<br>(セレキシパグ)          | 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<br>(プロギジルセン) | 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<br>FPI：2024年2月      | 日本・米国 |
|                 | 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：2026年度                     | 日本・米国 |
| P I / II        | NS-401<br>(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<br>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<br>FPI：2024年度上期（見込） | 日本・米国 |
| P I             | NS-917<br>(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    |

※スケジュールにはjRCTまたはClinical Trials.govの試験終了時期等を記載

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

**開発段階：** 国内 発売

米国 発売

グローバルPⅢ継続試験

**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

## － 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：** <他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫> 発売準備中  
<MCL> <CLL> PⅢ試験
- 開発形態：** 日本イーライリリー株式会社が開発  
2024/3日本イーライリリー株式会社と日本における  
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** : 自社開発

**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

**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：** P I 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：**PI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

2024 年度第 1 四半期決算説明会

2024 年 8 月 7 日

## 登壇

枝光：日本新薬 経営企画・サステナビリティ担当の枝光平憲でございます。

本日はお忙しいなか、当社の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。

早速ですが、web サイト掲載のプレゼンテーション資料に沿いまして、2024 年度 第 1 四半期の業績と研究開発の進捗状況について説明させていただきます。

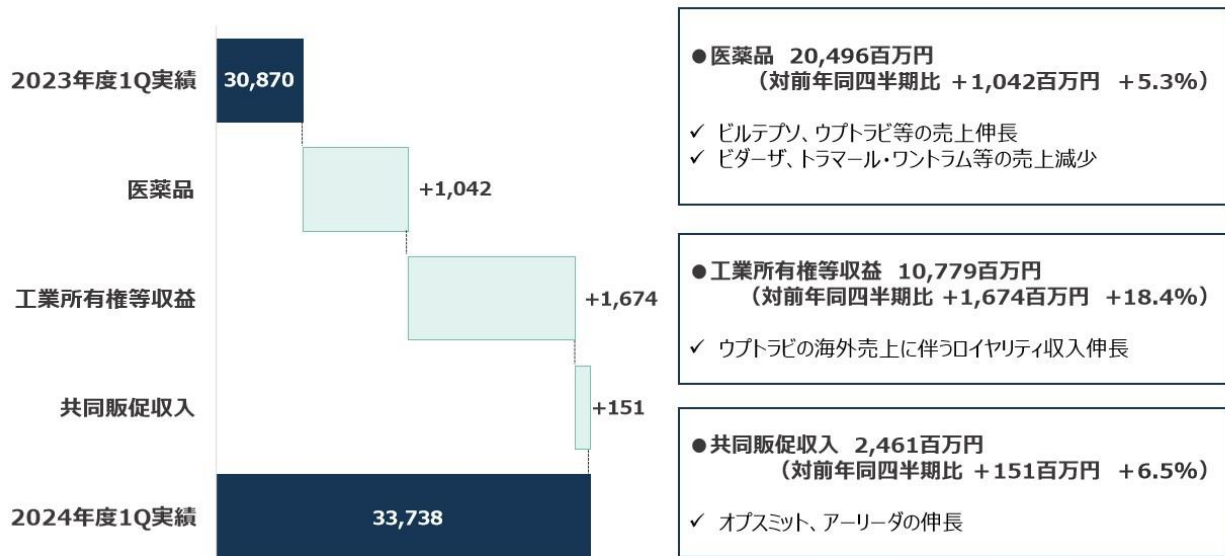
### 2024年度 第1四半期概要

| (百万円)                 | 2023年度1Q |         | 2024年度1Q |         | 差異       | 増減率      |
|-----------------------|----------|---------|----------|---------|----------|----------|
|                       | 実績       | 売上比     | 実績       | 売上比     |          |          |
| 売上収益                  | 37,012   | 100.0%  | 39,131   | 100.0%  | +2,118   | +5.7%    |
| （医薬品）                 | (30,870) | (83.4%) | (33,738) | (86.2%) | (+2,868) | (+9.3%)  |
| （機能食品）                | (6,142)  | (16.6%) | (5,393)  | (13.8%) | (△749)   | (△12.2%) |
| 売上原価                  | 12,962   | 35.0%   | 12,636   | 32.3%   | △326     | △2.5%    |
| 販売費及び一般管理費            | 8,418    | 22.7%   | 9,221    | 23.6%   | +803     | +9.5%    |
| 研究開発費                 | 5,911    | 16.0%   | 7,497    | 19.2%   | +1,586   | +26.8%   |
| その他の収益                | 1,572    | 4.2%    | 1,507    | 3.9%    | △64      | △4.1%    |
| （為替差益）                | (1,422)  | (3.8%)  | (1,211)  | (3.1%)  | (△210)   | (△14.8%) |
| その他の費用                | 129      | 0.3%    | 204      | 0.5%    | +74      | +58.0%   |
| 営業利益                  | 11,163   | 30.2%   | 11,078   | 28.3%   | △85      | △0.8%    |
| 金融収益                  | 298      | 0.8%    | 363      | 0.9%    | +65      | +21.8%   |
| 金融費用                  | 21       | 0.1%    | 31       | 0.1%    | +9       | +42.0%   |
| 税引前四半期利益              | 11,440   | 30.9%   | 11,411   | 29.2%   | △29      | △0.3%    |
| 法人所得税費用等              | 2,690    | 7.3%    | 1,146    | 2.9%    | △1,544   | △57.4%   |
| 親会社の所有者に帰属する<br>四半期利益 | 8,749    | 23.6%   | 10,264   | 26.2%   | +1,514   | +17.3%   |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.  
2

スライド 2 ページをご覧ください。2024 年度第 1 四半期の業績の概要ですが、連結売上収益 391 億 3 千 1 百万円、営業利益 110 億 7 千 8 百万円、税引前四半期利益 114 億 1 千 1 百万円、親会社の所有者に帰属する四半期利益は 102 億 6 千 4 百万円となりました。

## 医薬品売上収益の内訳



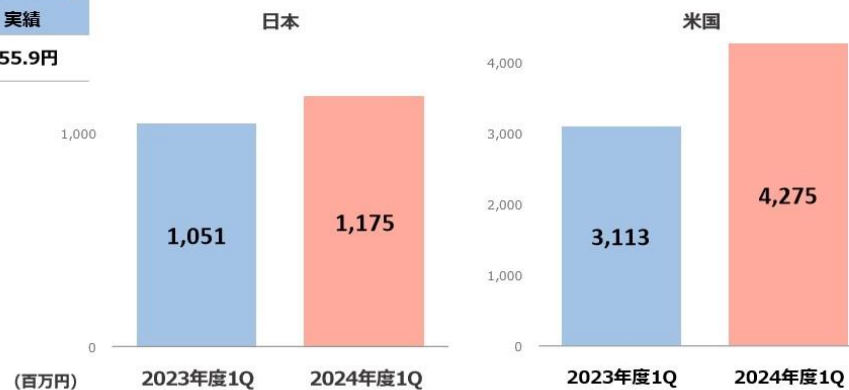
3

スライド3ページをご覧ください。医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響があったものの、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤「ビルテプソ」、肺動脈性肺高血圧症・慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤「ウブトラビ」、同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入等が伸長し、医薬品事業の連結売上収益は、337億3千8百万円と、対前年同期比9.3%の増収となりました。

## ビルテプソの売上

| (百万円)    | 2023年度1Q<br>実績 | 2024年度1Q<br>実績 | 差異     | 増減率    |                                                          |
|----------|----------------|----------------|--------|--------|----------------------------------------------------------|
| 日本       | 1,051          | 1,175          | +124   | +11.8% | ✓ 現在投与中の患者数は中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 | 3,113          | 4,275          | +1,162 | +37.3% | ✓ 投与患者及び投与希望患者数は増加中<br>✓ 国際共同第Ⅲ相試験 (RACER53 Study) 追加解析中 |
| 計        | 4,165          | 5,450          | +1,285 | +30.9% |                                                          |

| 為替   | 2023年度1Q<br>実績 | 2024年度1Q<br>実績 |
|------|----------------|----------------|
| 1USD | 137.5円         | 155.9円         |



4

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

スライド4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。日本国内では11億7千5百万円、米国では42億7千5百万円と、対前年同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 3,463百万円  
(対前年同四半期比 △821百万円 △19.2%)

✓ 販売価格の下落

●品質安定保存剤 800百万円  
(対前年同四半期比 +63百万円 +8.6%)

✓ 観光や行楽が活発になり外食関係の消費が回復

●サプリメント 552百万円  
(対前年同四半期比 +87百万円 +18.8%)

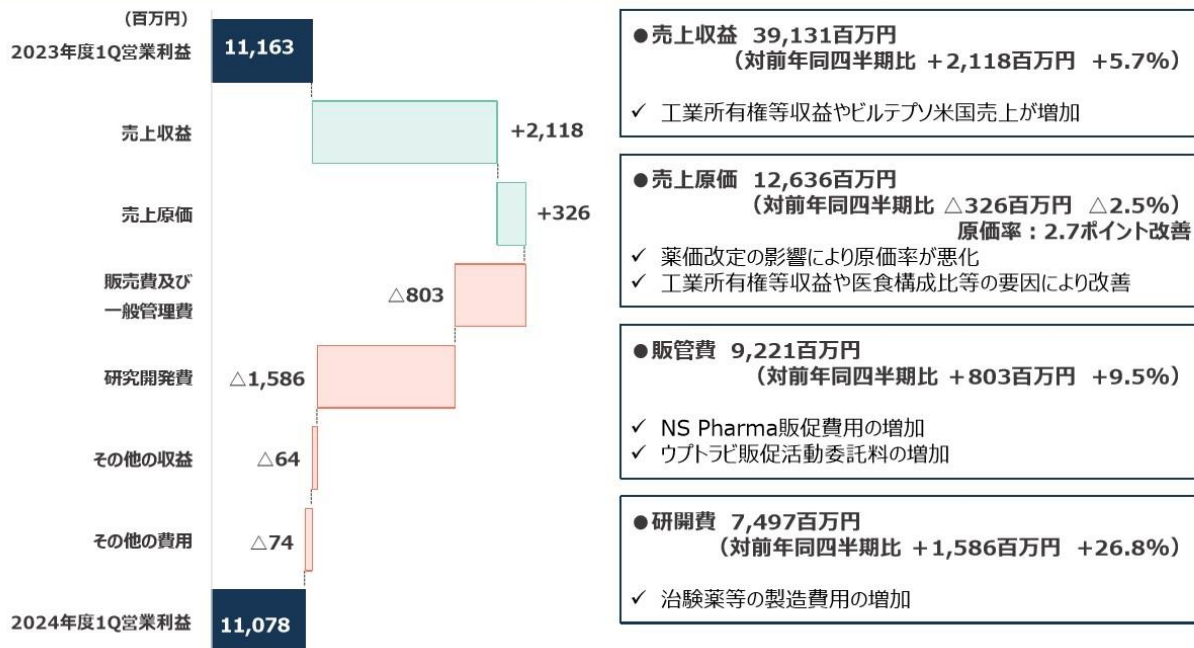
✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長

●健康食品素材 260百万円  
(対前年同四半期比 △45百万円 △14.8%)

スライド5ページをご覧ください。機能食品事業ですが、サプリメント等の売上は増加したものの、プロテイン製剤等の売上が減少し、機能食品事業の連結売上収益は、53億9千3百万円と、対前年同期比12.2%の減収となりました。



## 営業利益



スライド 6 ページをご覧ください。売上原価率は、工業所有権等収益の増加に加え、売上構成等の要因により、前年同期と比べ 2.7 ポイント改善し、32.3%となりました。販売費および一般管理費は、米国子会社 NS Pharma の販促費用、「ウプトラビ」の販促活動委託料などの増加により、92 億 2 千 1 百万円と、対前年同期比 9.5%の増加となりました。

研究開発費は、治験薬等の製造費用の増加などにより、74 億 9 千 7 百万円と、対前年同期比 26.8%の増加となりました。結果として、営業利益は 110 億 7 千 8 百万円と、対前年同期比 0.8%の減益となりました。

## 予想損益計算書（連結）

| (百万円)                 | 2023年度         |           | 2024年度         |         |              | 年度予想      |
|-----------------------|----------------|-----------|----------------|---------|--------------|-----------|
|                       | 1Q実績           | 年度実績      | 1Q実績           | 対上期進捗   | 上期予想         |           |
| 売上収益                  | 37,012         | 148,255   | 39,131         | 51.6%   | 75,800       | 154,000   |
| （医薬品）                 | (30,870)       | (125,105) | (33,738)       | (51.7%) | (65,300)     | (132,500) |
| （機能食品）                | (6,142)        | (23,150)  | (5,393)        | (51.4%) | (10,500)     | (21,500)  |
| 売上原価                  | 12,962         | 50,234    | 12,636         |         | 25,400       | 51,000    |
| 販売費及び一般管理費            | 8,418          | 34,959    | 9,221          |         | 18,600       | 38,700    |
| 研究開発費                 | 5,911          | 31,676    | 7,497          |         | 16,800       | 32,400    |
| その他の収益                | 1,572          | 3,163     | 1,507          |         | 350          | 500       |
| その他の費用                | 129            | 1,252     | 204            |         | 350          | 400       |
| 営業利益                  | 11,163         | 33,295    | 11,078         | 73.9%   | 15,000       | 32,000    |
| 金融収益                  | 298            | 650       | 363            |         | 250          | 600       |
| 金融費用                  | 21             | 329       | 31             |         | 50           | 100       |
| 税引前四半期利益              | 11,440         | 33,616    | 11,411         | 75.1%   | 15,200       | 32,500    |
| 法人所得税費用等              | 2,690          | 7,764     | 1,146          |         | 1,700        | 3,500     |
| 親会社の所有者に帰属する<br>四半期利益 | 8,749          | 25,851    | 10,264         | 76.0%   | 13,500       | 29,000    |
| 為替                    | 2023年度1Q<br>実績 |           | 2024年度1Q<br>実績 |         | 2024年度<br>想定 |           |
| 1USD                  | 137.5円         |           | 155.9円         |         | 140.0円       |           |

スライド7ページをご覧ください。2024年度 通期連結業績予想につきましては、「ウプトラビ」の海外売上に伴うロイヤリティ収入および「ビルテプソ」等の新製品群の売上収益が予想を上回ったことから5月10日の決算公表時より修正をしており、通期の連結売上収益は1,540億円、連結利益は、営業利益320億円、税引前利益325億円を見込んでおります。

また、米国連結子会社における繰延税金資産の回収可能性を検討し見積実効税率に反映させた結果、法人所得税費用が減少する見込みとなったことから、親会社の所有者に帰属する当期利益290億円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 |         | 年度差異   | 年度増減率 |
|----------|--------|---------|--------|---------|--------|-------|
|          | 1Q実績   | 年度実績    | 1Q実績   | 年度予想    |        |       |
| 医薬品      | 19,456 | 76,143  | 20,496 | 81,300  | +5,157 | +6.8% |
| 工業所有権等収益 | 9,104  | 40,304  | 10,779 | 42,100  | +1,796 | +4.5% |
| 共同販促収入   | 2,310  | 8,658   | 2,461  | 9,100   | +442   | +5.1% |
| 医薬品合計    | 30,870 | 125,105 | 33,738 | 132,500 | +7,395 | +5.9% |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 8

スライド 8 ページをご覧ください。医薬品事業においては、売上収益 1,325 億円で、前期と比べ、5.9%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」や新製品群などの伸長に加え、「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 |        | 年度差異   | 年度増減率  |
|---------|--------|--------|--------|--------|--------|--------|
|         | 1Q実績   | 年度実績   | 1Q実績   | 年度予想   |        |        |
| プロテイン製剤 | 4,284  | 15,600 | 3,463  | 13,000 | △2,600 | △16.7% |
| 品質安定保存剤 | 736    | 3,105  | 800    | 3,200  | +95    | +3.1%  |
| サプリメント  | 464    | 1,905  | 552    | 3,100  | +1,195 | +62.7% |
| 健康食品素材  | 306    | 1,248  | 260    | 1,100  | △148   | △11.9% |
| その他     | 349    | 1,290  | 316    | 1,100  | △190   | △14.7% |
| 機能食品合計  | 6,142  | 23,150 | 5,393  | 21,500 | △1,650 | △7.1%  |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 9



機能食品事業は、プロテイン製剤の売上が減少し売上収益 215 億円で、前期と比べ、7.1%の減収を見込んでおります。

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。2023 年度の決算公表時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。

## 直近1年間のR&Dアップデート (1/2)

赤字：2024年5月14日以降のアップデート

| 進捗                       | 開発品目<br>(一般名)                           | 製品名    | 適応症、内容等                                   | 時期          |
|--------------------------|-----------------------------------------|--------|-------------------------------------------|-------------|
| 発売                       | ZX008<br>(フェンフルラミン塩酸塩)                  | フィンデブラ | レノックス・ガストー症候群 (適応追加)                      | 2024年3月     |
| 発売                       | NS-87<br>(daunorubicin /<br>cytarabine) | ビキセオス  | 高リスク急性骨髄性白血病                              | 2024年5月     |
| 承認                       | LY3527727<br>(ピルトブルチニブ)                 | ジャイバーカ | 他のBTK 阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は<br>難治性のマントル細胞リンパ腫 | 2024年6月     |
| 申請                       | NS-304<br>(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                   | GA101<br>(オビマツスマブ)                      | 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<br>(プロギシルセン)             | —      | デュシェンヌ型筋ジストロフィー                           | 2024年2月     |
|                          | NS-229                                  | —      | 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症                            | 2024年6月     |
| 導入<br>(パイコア社)            | C21                                     | —      | 特発性肺線維症                                   | 2024年2月契約締結 |
| アライアンス契約<br>(日本イーライリリー社) | LY3527727<br>(ピルトブルチニブ)                 | ジャイバーカ | マントル細胞リンパ腫<br>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<br>慢性前立腺炎・慢性骨盤痛症候群                  | —           |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

11

スライド 11 ページをご覧ください。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 5 月に販売を開始しました。

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非共有結合型BTK 阻害剤

「LY3527727、ピルトブルチニブ」につきましては、「他のBTK 阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性のマントル細胞リンパ腫」の適応において 2024年 6 月に製造販売承認を取得しました。

好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤「NS-229」につきましては、グローバルフェーズ 2 試験を 2024 年 6 月より開始しました。

## 直近1年間のR&Dアップデート（2/2）

赤字：2024年5月14日以降のアップデート

| 進捗                        | 開発品目<br>(一般名)               | 製品名   | 適応症、内容等                                                                                         | 時期            |
|---------------------------|-----------------------------|-------|-------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------|
| 速報発表                      | NS-065/NCNP-01<br>(ビルトラルセン) | ビルテプソ | 国際共同第Ⅲ相試験 (RACER53 Study)                                                                       | 2024年5月       |
| 学会発表                      | NS-065/NCNP-01<br>(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-089/NCNP-02<br>(フロギシルセン) | —     | 非臨床データ : Molecular Therapy Nucleic Acids                                                        | 2023年10月      |
| オーファンドラッグ指定               | NS-089/NCNP-02<br>(フロギシルセン) | —     | デュシェンヌ型筋ジストロフィー                                                                                 | 2023年12月 (欧州) |
| 希少疾病用医薬品指定                | NS-401<br>(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<br>(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<br>核酸医薬の創製を目的とした研究提携                                                 | 2024年4月       |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 12

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、2024年5月にグローバルフェーズ3試験の解析結果の速報を発表しました。

現在は規制当局との議論を進めるため、追加の解析をしております。

以上、2024年度第1四半期の業績と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。

2024 年度第 1 四半期決算説明会 Q & A (要約)

2024 年 8 月 7 日開催

| NO | 質問内容                                                                                                                                            | 回答                                                                                                                   |
|----|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1  | 通期に売上収益を 40 億円増やしているが、ビルテプソの売上とウプトラビのロイヤリティ収入は約 10 億円しか増えていない。そのためその他の製品で売上の計画が約 30 億円増えているということだと推察される。開示されない売上として、フィンテプラやビキセオス以外にどのようなものがあるか。 | フィンテプラ、ビキセオスの売上、それとビルテプソのその他地域への売上も増えている。その他にも少しずつ売上が増える見込みの製品があるため、それらの合計になる。ビキセオスの売上に関しては当初の計画よりかなり上振れしているのは確かである。 |
| 2  | ビルテプソ、ウプトラビのロイヤリティで説明がつかない約 30 億円の売上のうち大部分はビキセオスか。もしくはその他の地域へのビルテプソの売上が大きいのか。                                                                   | 大きいのはビキセオスである。                                                                                                       |
| 3  | ビキセオスの売上は開示しないのか。                                                                                                                               | まだ当社の開示基準に満たないため開示しない。                                                                                               |
| 4  | 御社は年間の売上予想が 20 億円に達せば個別製品の売上収益を開示するのか。                                                                                                          | そのレベルに達する予定になれば開示する。                                                                                                 |
| 5  | 上期、下期別に確認すると下期にコストが多くなっているが、元々の計画から下期にコストがずれることを想定しているのか。                                                                                       | 販管費および研開発の一部が下期にずれるので、その分を考慮している。                                                                                    |
| 6  | 上期の研究開発費が下期にずれているが、核酸原薬の費用発生タイミングがずれたことが大きいのか。                                                                                                  | 製造費用のタイミングに加え委託研究費も含まれている。                                                                                           |
| 7  | 米国の販管費に CAP-1002 関連のコストが入ると伺ったが、このコストはまだ全く入っていないのか。このまま進めば下期や 4Q に集中的に入ってくるのか、あるいは今後徐々に入ってくるのか。                                                 | 4Q に発生すると想定している。                                                                                                     |
| 8  | 為替の想定はもともと 1 ドル＝140 円だったと思うが、修正した予想に用いられている為替の想定はいくらか。                                                                                          | 引き続き 1 ドル＝140 円を想定している。                                                                                              |

|    |                                                                                                                              |                                                                                                                                                                                                                                                             |
|----|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 9  | ビルテプソの米国売上は今回少し上方修正しているが、実績は為替の影響を除けば計画通りか。                                                                                  | ドルベースでも社内計画を上回っている。                                                                                                                                                                                                                                         |
| 10 | 修正予想でも為替の前提は変わっていないとのことなので、下期の予想は動かしていないのか。                                                                                  | 概ね当初の計画を見込んでいる。                                                                                                                                                                                                                                             |
| 11 | 今回 1Q での為替の上振れ効果は売上と営業利益にどの程度の影響があったのか、その数字を教えてほしい。今後の為替水準は読めないが、140 円の前提を変えず、2Q 以降に現状の為替水準が続くとすると、1Q よりも為替の効果は減少していくのではないか。 | 1Q の為替の実績は約 155 円で、当初の想定が 140 円のため約 15 円上振れた。米国のビルテプソの売上実績と、工業所有権等収益の 1Q の実績に対して為替の差を考えていただいたらご理解いただけると思う。2Q 以降も 140 円の予想は変えていないので、今後為替水準が 140 円で推移すれば計画に近い水準になる。仮に為替レートが 140 円を切ることがあれば少しは影響を受けると思うが、ビルテプソなど数量ベースでも計画よりプラスアルファで進捗しているので、大きな問題にはならないと考えている。 |
| 12 | 売上段階での為替の上振れ効果は計算すればわかるが、営業利益段階での為替の上振れ効果はいくらか。米国のコストも影響していると思う。                                                             | 具体的な数字の開示はしていない。                                                                                                                                                                                                                                            |
| 13 | 実効税率について今期は 10.8%程度だと思うが、来期以降はどのように考えたら良いか。                                                                                  | 見積実効税率について来期は通常に戻る予定である。法人所得税費用のマイナスは一時的なものである。                                                                                                                                                                                                             |
| 14 | ビルテプソについて規制当局との状況を詳しく教えてほしい。5 月の中計説明会の時にはステロイドが影響した可能性があると聞いたが、現状の見解はどうか。                                                    | 前回の説明会の時から大きくは変わっていない。社内での解析は概ね終了し、今後は FDA との協議に移る。FDA との協議は秋ごろを想定しており、その議論の結果が出るのは概ね年内を想定している。                                                                                                                                                             |
| 15 | 御社としては P3 試験をやり直すという前提か。                                                                                                     | その前提である。                                                                                                                                                                                                                                                    |
| 16 | ビルテプソの P3 試験について、5 月の説明会の際は今回の結果で通常承認が取れる確率や承認取り消しになるリスク等を様々な表現を用いて説明されていたが、社内での解析がほぼ終わった今、それらの表現が変わる可能性のある新たな発見はあったのか。      | 5 月の説明会では、特定のデータに基づいた予想を話していたわけではない。その後、追加解析によって、あるポピュレーションでは有効性を確認できるようなデータが得られているので、引き続き承認維持という方向で進めたいと考えている。                                                                                                                                             |
| 17 | 当局との協議の結果は年内に開示するということだが、具体的なデータについては開示の方針や見込みは立っているのか。                                                                      | 当局との議論の結論が出る前後ぐらいで公表することを考えている。                                                                                                                                                                                                                             |

|    |                                                                                                                                    |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |
|----|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 18 | 今のところ医療現場における反響をどのように受け止めているか。具体的なデータがなくトップラインの定性的なコメントしかないが、これまで治療されている方の継続に対する意欲や未治療の方の投与開始に対する意欲など医師や患者さんの受け止め方にはどのような影響が出ているか。 | 投与されている患者さんが今回の試験結果を受けて、投与を中断し競合品に移行した例は現時点で米国では1例もなく、引き続きビルテプソを投与いただいている。国内はビルテプソしか治療薬がないが、医師にトップラインデータを説明し、引き続き投与を継続していただいている。新規の患者さんについても、然るべきタイミングで投与を開始されているが、P3試験の結果が出る前から十分に薬剤が行きわたっているので、新規の投与患者数としては微増である。米国では厳密な影響は分かりかねるが、ビルテプソおよびVYONDYS53が発売されてからある程度の時間が経っており新規投与患者数が徐々に減ってきているという状況を踏まえると、大きな影響は受けていないと考える。 |
| 19 | 米国の1Qのビルテプソの新規患者数を教えてほしい。またその数字はQonQで増えているのか。サレプタ社の遺伝子治療が6月に本承認をとってから影響を受けているのか。                                                   | 当初の計画通り、新規の患者さんは増えており毎月数名ずつ積みあがっている。                                                                                                                                                                                                                                                                                       |
| 20 | 日本国内では90名程度の投与患者がいるのか。                                                                                                             | 90名プラスアルファ程度である。                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| 21 | 米国の現場の雰囲気、状況を教えてほしい。特に7月以降を見据えた場合にどうなるのか。                                                                                          | 7月に入ってもビルテプソを使っていたいただいている患者さんが遺伝子治療に切り替えた事例はない。Elevidysの売上は大きいですが、エクソンスキッピング薬が使用できない患者さんが先に使っているのではないかと考えている。今回の本承認で投与患者に対する年齢制限はなくなったが、元々4-5歳という年齢制限があったこともあり、ビルテプソ投与患者さんが直ちに遺伝子治療に切り替わることはなかった。新規患者についても今のところ影響があるという話は聞いていない。本承認となったため今後どのような影響が出るのかは注視していく必要がある。現場でも引き続き情報収集はしていく。                                     |
| 22 | 2023年度第2四半期決算説明会で中井社長から「ビルテプソとElevidysを併用できる保険もあるが、実際にそのように償還された事例はまだ聞いていない」という話があった。Elevidysを投与した後にビルテプソを投与している患者さんはいるのか。         | 両方の薬剤が償還されることがあると聞いているが、実際にはElevidysを投与した後にビルテプソを投与した例はまだ聞いていない。                                                                                                                                                                                                                                                           |

|    |                                                                             |                                                                                         |
|----|-----------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------|
| 23 | 今のところは Elevidys の本承認からまだ 1, 2 か月だが、それぞれ独立したところでビジネスをしているのか。                 | 売上から推測すると急速に Elevidys の治療を受けた方は増加していると思うが、今のところビルテプソの投与患者に関しては Elevidys と併用された患者さんはいない。 |
| 24 | NS-050 は臨床試験のサイトが 1 か所だけでまだ患者さんには投与されていないと思うが、上期中には開始されそうか。                 | 若干時期が前後する可能性はあるが候補患者さんは見つかったので上期中には開始したいと思っている。                                         |
| 25 | NS-051 については臨床試験の情報は出ていないがどのような状況か。動物実験について FDA と何か調整の必要があるのか。              | 臨床入りに必要な非臨床データの解釈に FDA との調整が必要な状況であり、議論を続けている状況である。                                     |
| 26 | CAP-1002 のローリング BLA はもう始まっているのか。FDA とのミーティングは 7-9 月に実施するとのことだが、何か言えることはあるか。 | 当社としてはそういった情報はアップデートしていない。カプリコール社から発表されると思うのでそちらを確認していただきたい。                            |
| 27 | 中計説明会で医師の資格を持つ CMO を採用するという話があったが、現状はどのようなになっているか。                          | 現在米国で採用活動を進めているが採用には至っていない。                                                             |
| 28 | いつまでに採用できそうか。                                                               | 我々が適任と考えている人財がいつまでに見つかるかは申し上げられない。                                                      |