

2024年度 第2四半期（中間期） 決算説明会

2024年11月15日
日本新薬株式会社

01

2024年度 第2四半期の業績と2024年度の業績見通し
CAP-1002 アップデート

02

研究開発の進捗状況
ビルテプソの動向

03

新製品の紹介

2024年度 第2四半期の業績と 2024年度の業績見通し

代表取締役社長 中井 亨

2024年度 2Q（4-9月）概要

(百万円)	2023年度 2Q（4-9月）		2024年度 2Q（4-9月）		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	73,314	100.0%	79,332	100.0%	+6,017	+8.2%
（医薬品）	(60,988)	(83.2%)	(68,496)	(86.3%)	(+7,507)	(+12.3%)
（機能食品）	(12,325)	(16.8%)	(10,836)	(13.7%)	(△1,489)	(△12.1%)
売上原価	25,320	34.5%	24,935	31.4%	△384	△1.5%
販売費及び一般管理費	16,952	23.1%	18,031	22.7%	+1,079	+6.4%
研究開発費	12,517	17.1%	16,732	21.1%	+4,215	+33.7%
その他の収益	2,596	3.5%	455	0.6%	△2,140	△82.5%
（為替差益）	(2,261)	(3.1%)	-	-	(△2,261)	△100.0%
その他の費用	242	0.3%	2,219	2.9%	+1,976	+815.0%
（為替差損）	-	-	(1,935)	(2.4%)	(+1,935)	-
営業利益	20,878	28.5%	17,867	22.5%	△3,010	△14.4%
金融収益	326	0.4%	396	0.5%	+70	+21.6%
金融費用	57	0.1%	65	0.1%	+7	+13.7%
税引前中間利益	21,146	28.8%	18,198	22.9%	△2,947	△13.9%
法人所得税費用等	4,970	6.8%	1,825	2.3%	△3,144	△63.3%
親会社の所有者に帰属する 中間利益	16,176	22.1%	16,373	20.6%	+196	+1.2%

医薬品売上収益の内訳

(百万円)

2023年度 2Q
(4-9月)実績

60,988

医薬品

+3,137

工業所有権等収益

+4,074

共同販促収入

+295

2024年度 2Q
(4-9月)実績

68,496

● 医薬品 41,140百万円
(対前年同期比 +3,137百万円 +8.3%)

- ✓ 薬価改定や後発品の影響
- ✓ ビルテプソ、ウプトラビ等の売上伸長
- ✓ ビキセオス（5月発売）等の新製品群の売上が寄与

● 工業所有権等収益 22,655百万円
(対前年同期比 +4,074百万円 +21.9%)

- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入伸長

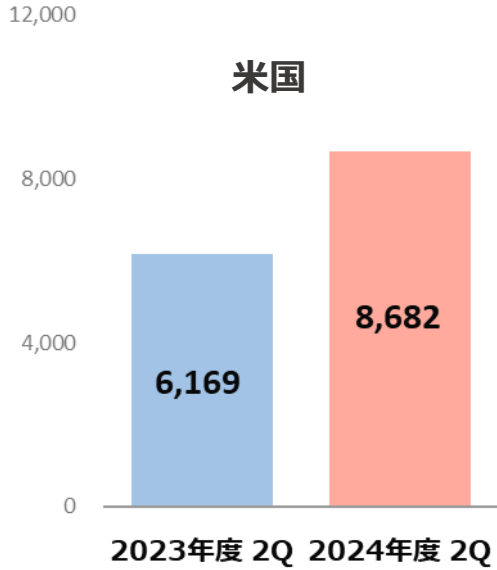
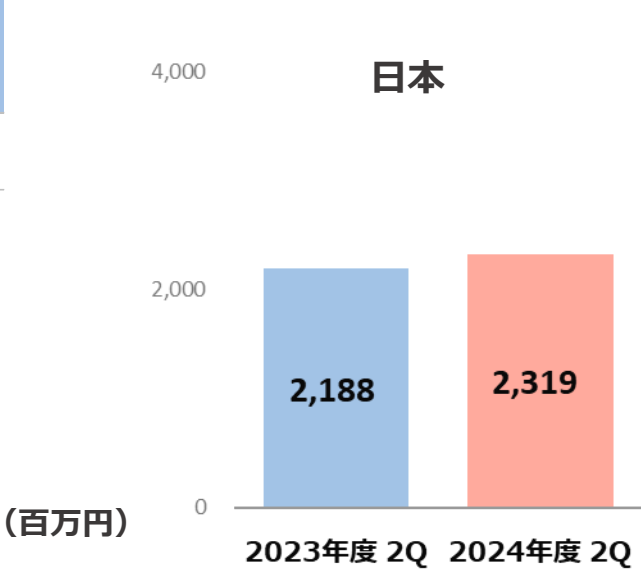
● 共同販促収入 4,700百万円
(対前年同期比 +295百万円 +6.7%)

- ✓ オプスミット、アーリーダの伸長

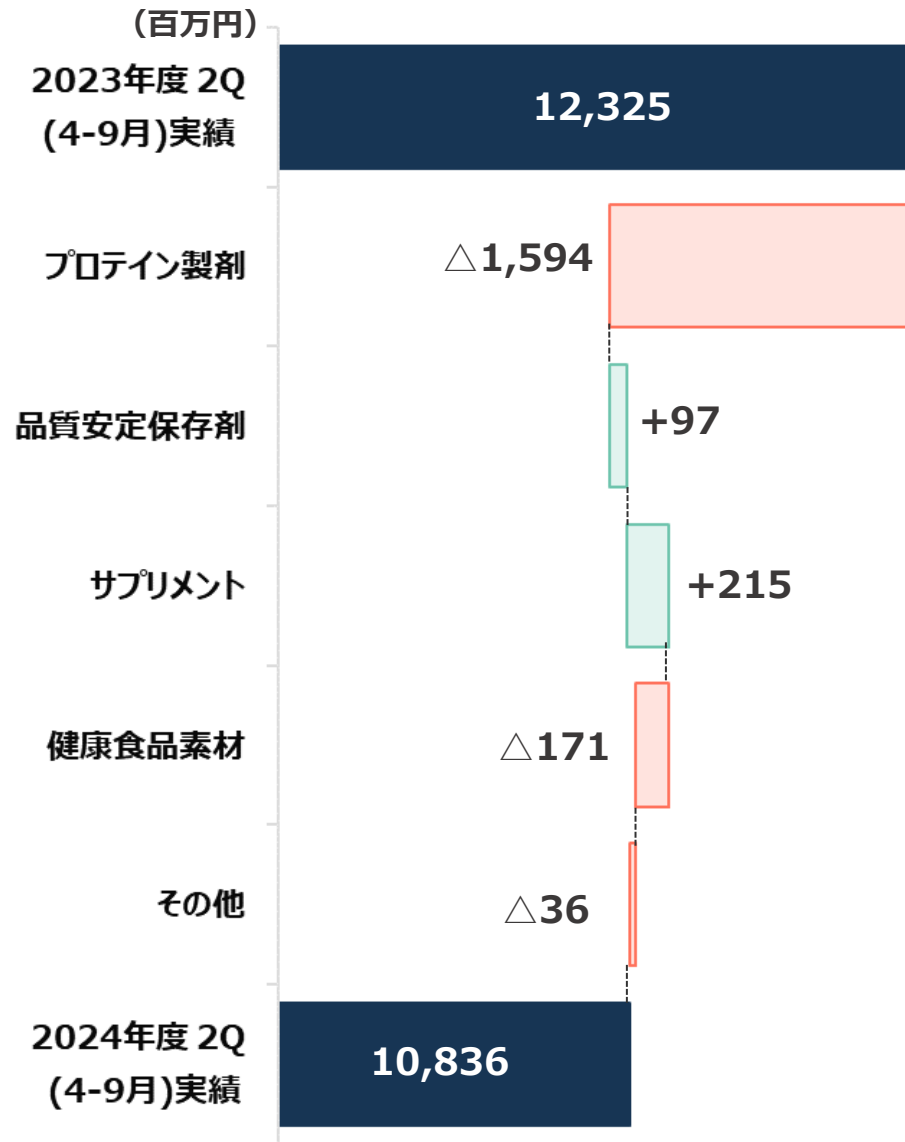
ビルテプソの売上

(百万円)	2023年度 2Q (4-9月) 実績	2024年度 2Q (4-9月) 実績	差異	増減率	
日本	2,188	2,319	+131	+6.0%	✓ 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 ✓ 現在は低年齢の53スキップ対象患者の早期発見・早期治療介入による売上伸長にも取り組んでいる
ビルテプソ 米国	6,169	8,682	+2,512	+40.7%	✓ 投与患者及び投与希望患者数は増加中 ✓ 2024年10月にP2(211)試験のデータをScientific Reports誌に発表。 歩行可能・歩行不能患者の両方において、呼吸機能の改善や運動機能の維持がみられた
計	8,358	11,002	+2,643	+31.6%	

為替	2023年度 2Q (4-9月) 実績	2024年度 2Q (4-9月) 実績
1USD	141.1円	152.8円



機能食品売上収益の内訳



●**プロテイン製剤** 6,893百万円
(対前年同期比 △1,594百万円 △18.8%)

- ✓ 加工食品業界向けプロテイン製剤の販売価格ダウン
- ✓ 顧客の安価な原料への切り替えが進み、乳たん白類の使用量が減少

●**品質安定保存剤** 1,620百万円
(対前年同期比 +97百万円 +6.4%)

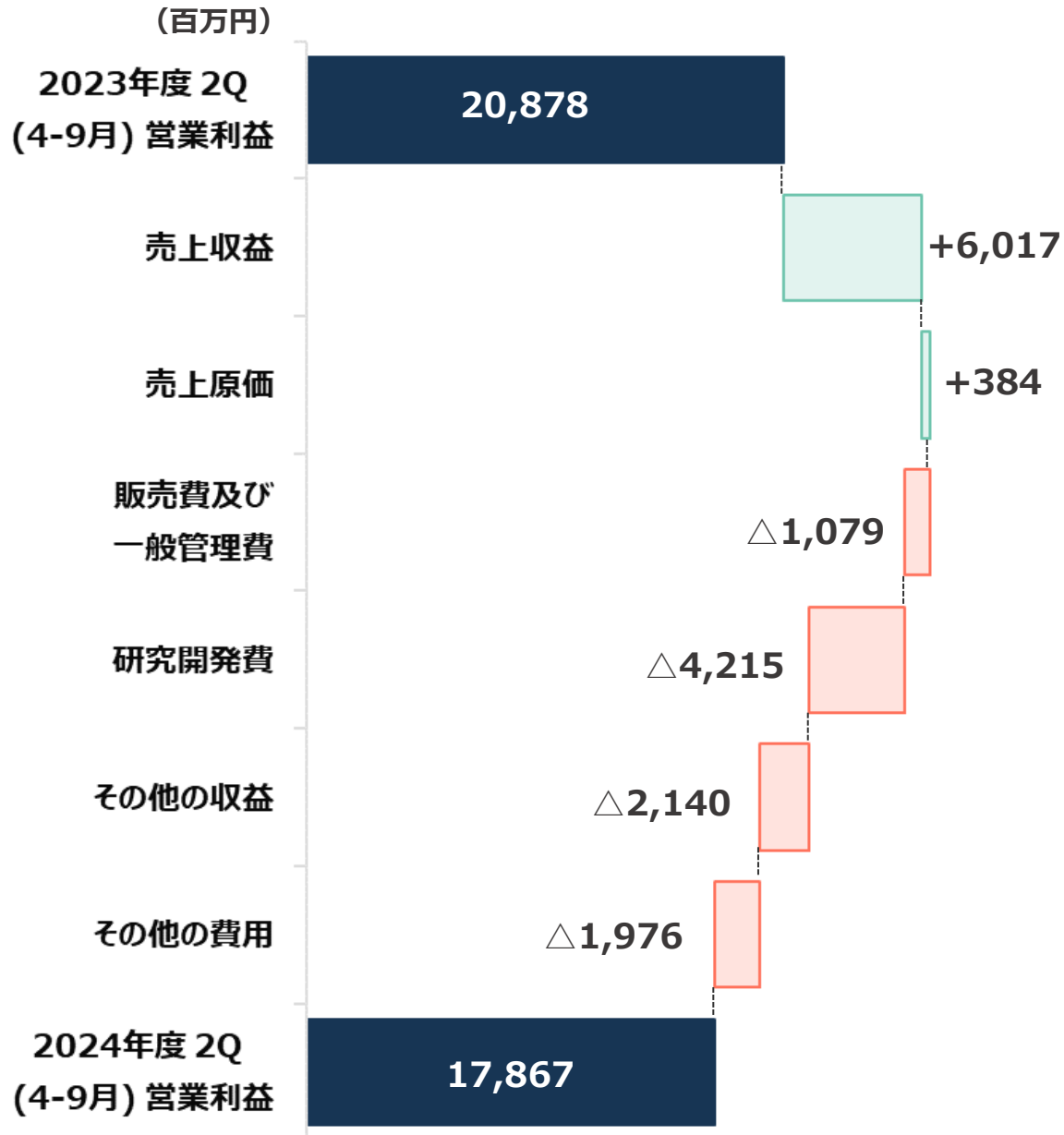
- ✓ 観光や外食産業の回復が堅調

●**サプリメント** 1,202百万円
(対前年同期比 +215百万円 +21.8%)

- ✓ スポーツ分野はイベント回復に加え、シニア層の需要が増加
- ✓ エイジングケア分野もEC販売施策により伸長

●**健康食品素材** 487百万円
(対前年同期比 △171百万円 △26.1%)

営業利益



●売上収益 79,332百万円
(対前年同期比 +6,017百万円 +8.2%)
✓ ビルテプソ、ウプトラビ等の売上伸長、新製品ビキセオスの寄与
✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入が引き続き伸長

●売上原価 24,935百万円
(対前年同期比 △384百万円 △1.5%)
原価率：3.1ポイント改善
✓ 薬価改定の影響により原価率悪化
✓ 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 18,031百万円
(対前年同期比 +1,079百万円 +6.4%)
✓ 人件費、ウプトラビの売上増加に伴う販促委託料の増加

●研開費 16,732百万円
(対前年同期比 +4,215百万円 +33.7%)
✓ 委託研究費の増加

●その他の収益 455百万円
(対前年同期比 △2,140百万円 △82.5%)
●その他の費用 2,219百万円
(対前年同期比 +1,976百万円 +815.0%)
✓ 前年度の為替差益に代わり、今年度は為替差損が発生

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%	157,000	100.0%	+8,745	+5.9%
（医薬品）	(125,105)	(84.4%)	(135,500)	(86.3%)	(+10,395)	(+8.3%)
（機能食品）	(23,150)	(15.6%)	(21,500)	(13.7%)	(△1,650)	(△7.1%)
売上原価	50,234	33.9%	50,500	32.2%	+266	+0.5%
販売費及び一般管理費	34,959	23.6%	39,000	24.8%	+4,041	+11.6%
研究開発費	31,676	21.4%	33,000	21.0%	+1,324	+4.2%
その他の収益	3,163	2.1%	900	0.6%	△2,263	△71.5%
その他の費用	1,252	0.8%	2,400	1.5%	+1,148	+91.6%
営業利益	33,295	22.5%	33,000	21.0%	△295	△0.9%
金融収益	650	0.4%	700	0.4%	+50	+7.6%
金融費用	329	0.2%	100	0.1%	△229	△69.7%
税引前利益	33,616	22.7%	33,600	21.4%	△16	△0.0%
法人所得税費用等	7,765	5.2%	3,600	2.3%	△4,165	△53.6%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	25,851	17.4%	30,000	19.1%	+4,149	+16.0%

業績予想における2024年度下期の為替レートは1USD=140円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約2億円増加、営業利益が約3億円増加を想定。

業績予想の修正

(百万円)	2024年度 前回修正予想*	2024年度 今回修正予想	差異	増減率
売上収益	154,000	157,000	+3,000	+1.9%
（医薬品）	(132,500)	(135,500)	(+3,000)	(+2.3%)
（機能食品）	(21,500)	(21,500)	-	-
売上原価	51,000	50,500	△500	△1.0%
販売費及び一般管理費	38,700	39,000	+300	+0.8%
研究開発費	32,400	33,000	+600	+1.9%
その他の収益	500	900	+400	+80.0%
その他の費用	400	2,400	+2,000	+500.0%
営業利益	32,000	33,000	+1,000	+3.1%
金融収益	600	700	+100	+16.7%
金融費用	100	100	-	-
税引前利益	32,500	33,600	+1,100	+3.4%
法人所得税費用等	3,500	3,600	+100	+2.9%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	29,000	30,000	+1,000	+3.4%

●売上収益 157,000百万円
（前回予想比+3,000百万円 +1.9%）

✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入やビルテ
プソ米国売上が円安の寄与も含め、強含みで推移

●研究開発費 33,000百万円
（前回予想比+600百万円 +1.9%）

✓ 導入品の研究開発費での負担増

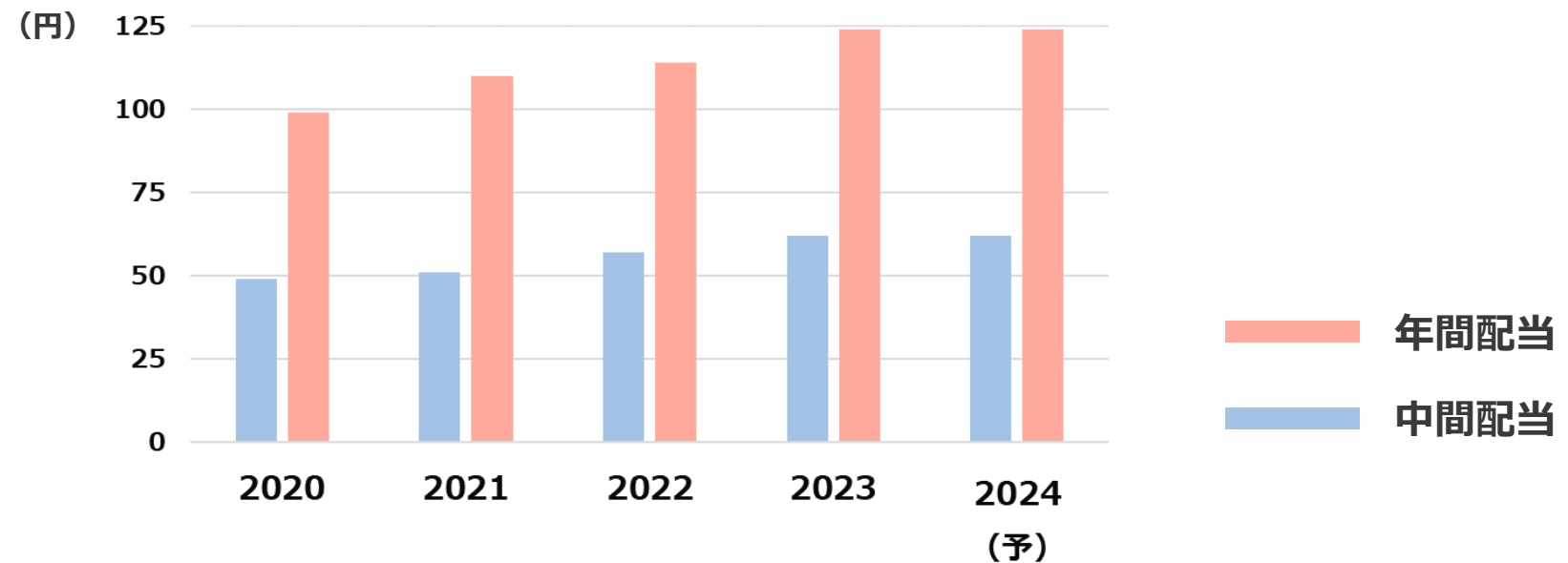
●その他の費用 2,400百万円
（前回予想比 +2,000百万円 +500.0%）

✓ 年度末 1USD=140円想定で為替差損発生

*2024年8月7日 2024年度第1四半期決算発表

配当予想

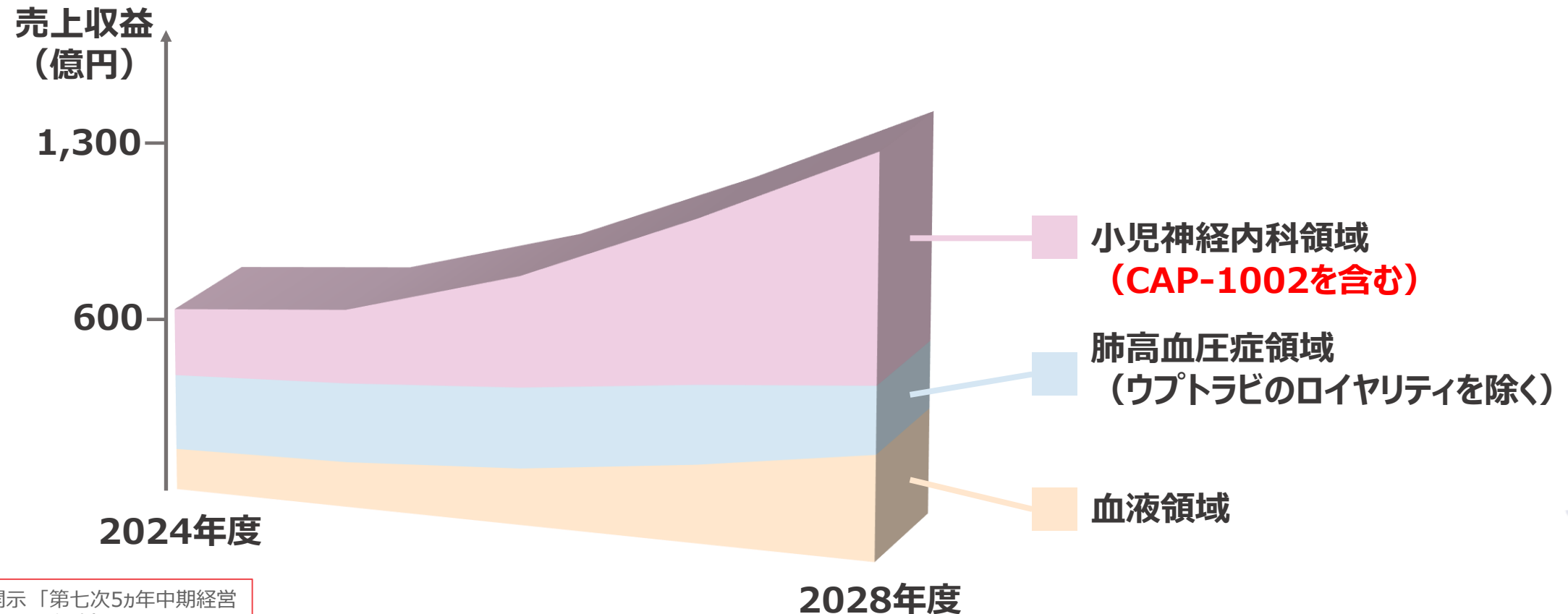
		2023年度	2024年度
普通株式1株当たり配当金	中間配当金	62 円	62 円
	年間配当金	124 円	124 円
基本的1株当たり当期利益		383.82 円	445 円（予想）



デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤 CAP-1002 アップデート

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



2024年05月27日開示「第七次5か年中期経営計画（2024年度～2028年度）～For Global Growth Beyond the Cliff～」p.28より改変

CAP-1002 (deramiocele) : 開発スケジュールについての更新

カプリコール社の2024年9月24日付の開示によると、CAP-1002の承認申請スケジュールが当初の予定より早まった。上記を受けて、日本新薬の米国子会社であるNS Pharmaが現地での製品販売を準備中。

	以前の開示	2024年9月24日以降
承認申請開始 予定	2025年の予定	段階的承認申請の開始*
PDUFA (FDA承認) 予定日	2026年	2025年後半までの見込み
想定される 承認	第Ⅲ相試験 HOPE-3 (コホートA) 試験データに もとづく承認	第Ⅱ相試験 HOPE-2およびオープンラベル継続投与 (HOPE-2 OLE) 試験で得られた既存の心臓機能に 関するデータを自然歴データと比較し、正式承認 (full approval) を目指す
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症
主なイベント	✓ 2024年第4四半期 (10-12月) にHOPE-3 (コホートA) のトップラインデータを報告予定	✓ 段階的承認申請の2024年末までの完了

* 2024年10月9日開示

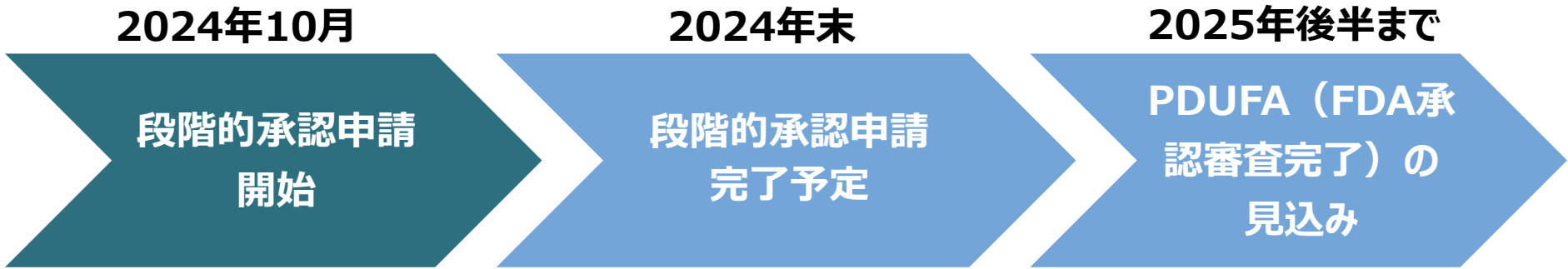
核酸医薬品との補完関係が期待されるDMD治療薬

カプリコール社との提携

提携内容	国・地域	契約締結日	開発	開発時期	販売
デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を期待適応症とするCAP-1002(deramiocele) の独占的な販売提携契約	米国	2022年1月	カプリコール社	下図参照	日本新薬グループ
	日本	2023年2月		未定	
	欧州	- LOI ¹ およびBTS ² を2024年9月に調印 - 現在、独占交渉権を得て協議中			

1: 意向表明書 (Letter of Intent)
2: バインディング・タームシート (Binding Term Sheet)

カプリコール社による米国での開発



カプリコール社は、「DMD 心筋症」を適応症とした本承認を目指している。

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

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。

2024年05月27日開示「第七次5か年中期
経営計画（2024年度－2028年度）～For
Global Growth Beyond the Cliff～」
p.26より改変

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

DMD心筋症

※ 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、
SLE: 全身性エリテマトーデス
※ 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

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 (daunorubicin / cytarabine)	ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病	2024年5月
発売	LY3527727 (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 難治性のマンツル細胞リンパ腫	2024年8月
承認	ACT-064992D (マシデンタン/タダラフィル)	ユバンシ	肺動脈性肺高血圧症	2024年9月
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
段階的承認申請	CAP-1002 (deramioceI)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	2024年10月（米国）
P II 試験開始	NS-089/NCNP-02 (ブロギジルセン)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年2月
P II 試験開始	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2024年6月
P I / II 試験開始	NS-050/NCNP-03	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年10月
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	—

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
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株式会社)	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	ジャイパーカ	マントル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	2024年3月契約締結
レター・オブ・_intent締結 (Capricor社)	CAP-1002 (deramiocel)	—	当社が販売を行うことを規定する販売提携契約を独占的に交渉できるレター・オブ・intentを締結	2024年9月（欧州）
ライセンス契約 (Atsena社)	ATSN-101	—	レーバー先天性黒内障1型を含む両アレル性GUCY2D遺伝子変異による遺伝性網膜ジストロフィー	2024年11月契約締結
速報発表	NS-065/NCNP-01 (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 (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
オーファンドラッグ指定	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2023年12月（欧州）
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）
希少小児疾患指定	NS-050/NCNP-03	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年8月（米国）
提携 (MiNA社)	—	—	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



各位



2024 年 11 月 13 日

日本新薬株式会社
Atsena Therapeutics, Inc.

「ATSN-101」の日本および米国における独占的ライセンス契約締結のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）と Atsena Therapeutics, Inc.（本社：米国ノースカロライナ州ダーラム、最高経営責任者（CEO）：Patrick Ritschel、以下「Atsena 社」）は、本日、レーバー先天性黒内障 1 型（以下「LCA1」）を含む両アレル性 *GUCY2D* 遺伝子変異による遺伝性網膜ジストロフィーに対する遺伝子治療剤 ATSN-101（以下「本剤」）の米国における商業化、および日本における開発・商業化に関する独占的なライセンス契約を締結したことをお知らせします。

この契約に基づき、当社は米国および日本における本剤の独占的販売権を取得し、Atsena 社は米国と日本以外の全世界における販売権を保持します。なお、米国では当社の米国子会社である NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が販売・販促を実施します。

Atsena 社は、契約一時金、マイルストーン、売上高に応じたロイヤリティに加え、今後の検証的試験を含め、本剤の開発に係る費用を当社から受け取ります。

本剤は、LCA1 に対するファースト・イン・クラスの遺伝子治療剤であり、米国食品医薬品局（FDA）より、希少小児疾患指定、再生医療先進治療指定、希少疾病用医薬品指定を受けています。本剤が承認された場合、希少小児疾患指定制度に基づく FDA の優先審査パウチャーの権利は、Atsena 社が保有します。

当社社長の中井 亨は「本剤は、現在治療薬が存在しない LCA1 の治療に大いに貢献できるものと考えます。この新しい眼科遺伝子治療剤、およびその画期的な技術を有する Atsena 社と協力できる機会に恵まれたことを大変うれしく思います。」と述べています。

Atsena 社 CEO の Patrick Ritschel は「今回の提携は、本剤の開発を加速させる道筋を作るものであり、Atsena 社の先駆的な技術と開発力を証明するものです。本剤が、私たちの保有する多くの眼科遺伝子治療剤ポートフォリオにおける最初の上市品となることを期待しています。日本新薬と協力し、本剤を検証的試験へと進め、世界中の LCA1 に苦しむ患者さんやそのご家族に革新的な治療薬を提供できることを楽しみにしています。」と述べています。

- ✓ 網膜下に投与するアデノ随伴ウイルス5型の遺伝子治療剤
- ✓ 米国のアトセナ・セラピューティクス社と日本および米国における独占的ライセンス契約を締結
- ✓ 「希少小児疾患指定」「再生医療先進医療認定」「希少疾病用医薬品指定」を受理
- ✓ 現在アトセナ・セラピューティクス社が米国において第 I / II 相試験を実施

ビルテプソの動向

<臨床試験>

- ・国内第 I / II 相試験（2016～2017年）
- ・米国第 II 相試験（201試験：2016～2018年）およびその継続試験（202試験）

結果：

- ・DMD患者の骨格筋で、ジストロフィンタンパクの発現が確認された。
- ・自然歴群と比較して一部の検査項目で有意差が認められ、運動機能の改善が示唆された。

<承認・販売>

日本：2020年3月 条件付き早期承認取得、同年5月に販売開始

米国：2020年8月 迅速承認取得、販売開始

※承認条件として、検証試験としてのグローバル第Ⅲ相試験（301試験）の実施が求められている。

グローバル第Ⅲ相試験（RACER53試験、301試験）

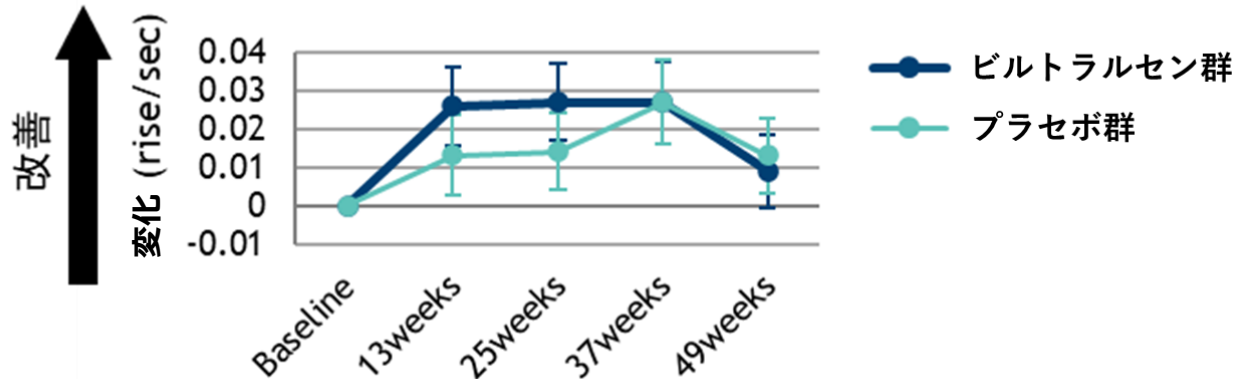
<対象患者>

エクソン53スキッピングにより治療可能なジストロフィン遺伝子の欠失を有する**4歳以上8歳未満**のDMD患者

<有効性>

主要評価項目：床からの立ち上がり時間（TTSTAND） ※48週間投与後におけるベースラインからの変化

床からの立ち上がり時間（速度）*



*床からの立ち上がり時間を速度で評価

- ・ビルトラルセン投与群で速度の増加傾向が認められた。一方、プラセボ投与群においても速度の増加傾向が認められた。
- ・ビルトラルセン投与群とプラセボ投与群に統計的な有意差は認められなかった。
- ・副次評価項目（10m歩行時間、4段階昇降時間、6分間歩行距離、NSAA）においても同様の傾向であった。

<安全性>

- ・有害事象の発現率はビルトラルセン投与群とプラセボ投与群との間に大きな差はなし。
- ・ビルトラルセン投与群で発現した有害事象はいずれも軽度または中等度であり、治療中止に至った症例はなかった。

ビルデプソの販売を継続した上で、追加の第Ⅲ相試験（303試験）を実施することについて、2024年10月にFDAとの会議を予定していた。



FDAより、データレビューと更なるFDA内協議が必要となるため、301試験の完全なデータセットを含む治験の総括報告書の提出を求められた。

今後

- 以下を提出
 - ・301試験の完全なデータセットを含む治験の総括報告書
 - ・303試験のプロトコル
- FDAのレビューが終了後、FDAとの会議を開催する予定。

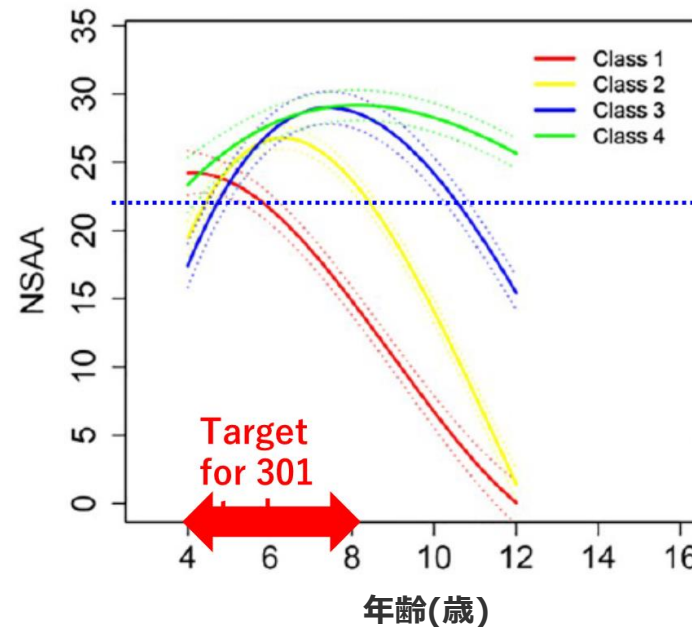
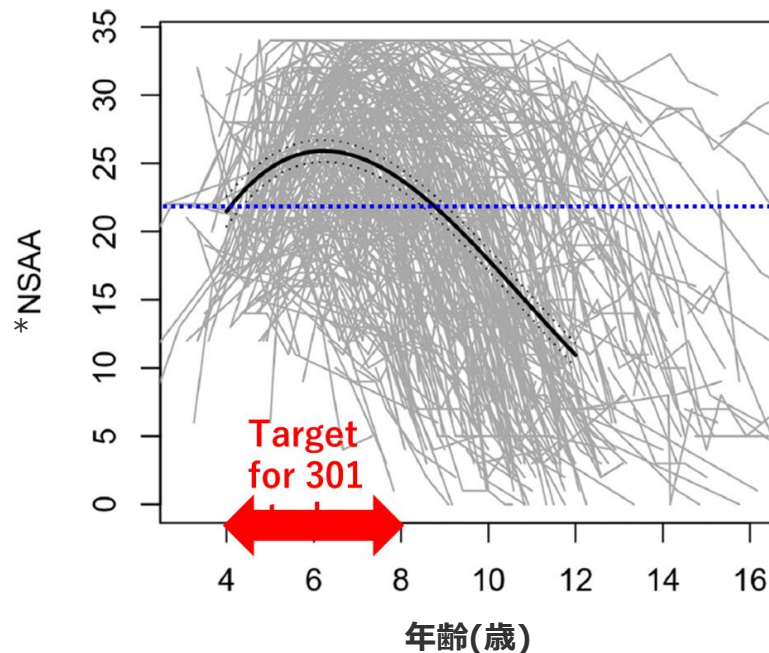
301試験における限界について：DMDの病状進行における異質性

301試験に登録された4歳以上8歳未満の患者

運動機能

成長とともに上昇している
プラトーに達している
病状の進行により下がり始めている

運動機能に違いのある
患者群が混在



class 1: patients which showed the fastest progression with most NSAA total scores falling to ≤ 5 around 10 years of age
class 2: patients with NSAA total scores falling to ≤ 5 by approximately 12 years of age
class 3: patients with NSAA total scores falling to ≤ 5 around 14 years of age
class 4: patients which showed the slowest progression, with NSAA total scores remaining > 5 to at least age 15 years

*NSAA(North Star Ambulatory Assessment) : DMD患者の運動機能を総合的に評価する評価法

(PLOS ONE 2019, Muntoni)

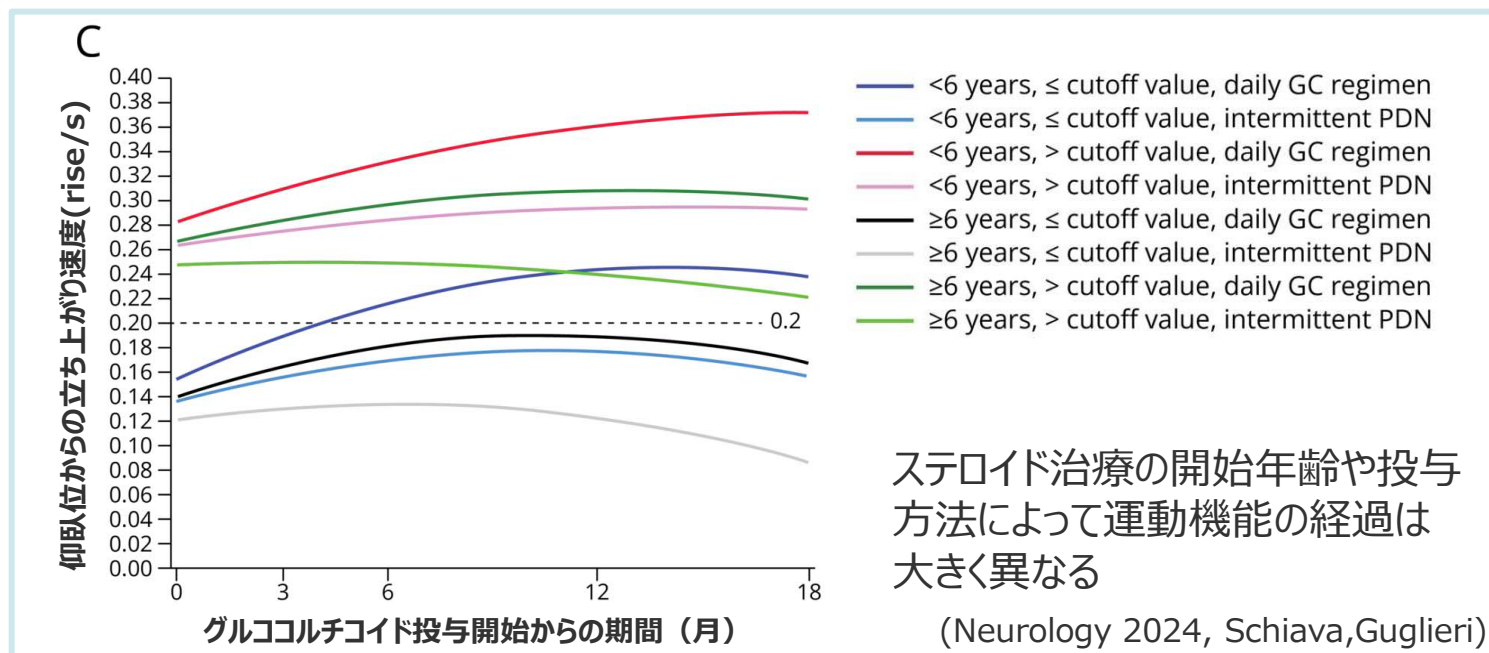
ビルトラルセン投与群とプラセボ投与群との間で、運動機能における差異を見出すことが
難しくなった可能性がある。

301試験における限界について：ステロイド使用

301試験でのステロイド使用の不均一性

- ステロイド投与用量のばらつき (0.11～1.11 mg/kg/day)
- 連日投与と間欠投与（10日投与10日休薬）が混在
- ビルトラルセン投与開始前のステロイド前投与期間※のばらつき（3～12ヶ月以上）

※組入基準：3ヶ月以上のステロイド前投与



組入基準は『3ヶ月以上ステロイドが前投与されていること』であったが、条件によってはステロイド投与による1年程度の運動機能改善が確認されている。

ステロイド併用における不均一性が、ビルトラルセン投与群とプラセボ投与群の比較に影響を与えた可能性がある。

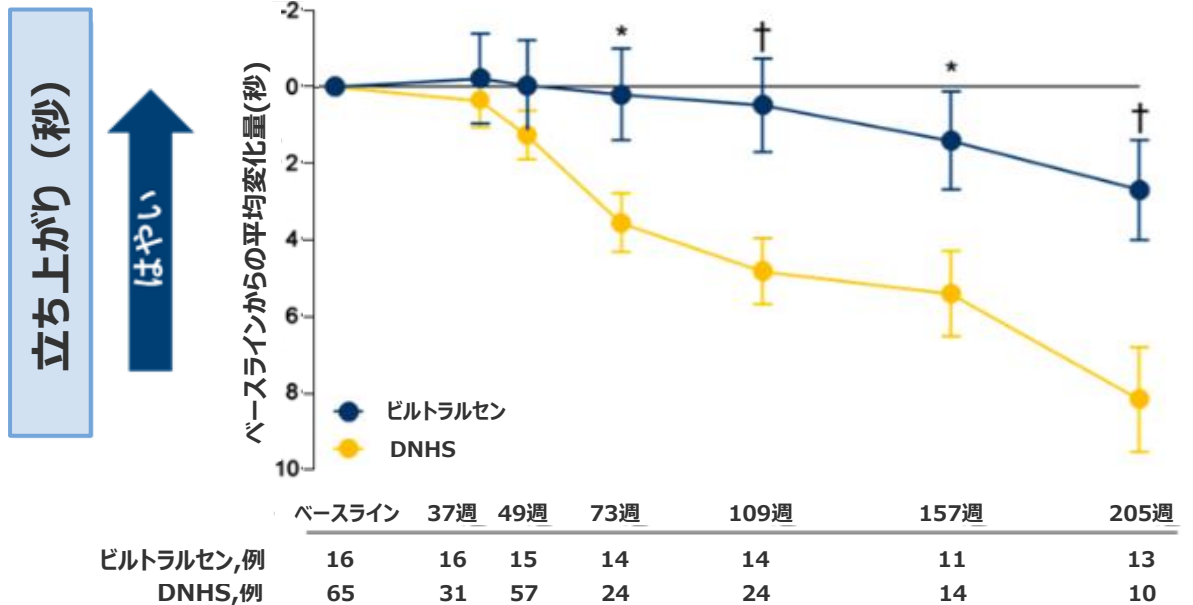
301試験における限界について：試験期間

ビルトラルセンの投与期間である1年間は、試験期間として十分ではなかった。

- ビルトラルセンの長期投与によって運動機能の改善が認められている。
(J Neuromuscul Dis 2023, Clemens)
- 欧州神経筋センター (ENMC) 国際研究集会は、ジストロフィン上昇は12ヶ月以内に起こるが、それに伴う臨床機能の改善を明確に示すには、少なくとも18～24ヶ月が必要と指摘している。

(Neuromuscul Disord 2023, Naarding)

P2試験およびその継続試験におけるビルトラルセンの長期の有効性



*P < 0.05; †P < 0.01; ‡P ≤ 0.001.

DNHS, Duchenne Natural History Study (DMD自然歴対照群)

(J Neuromuscul Dis 2023, Clemens)

提案予定の追加第Ⅲ相試験（303試験）デザイン

＜対象患者の年齢＞

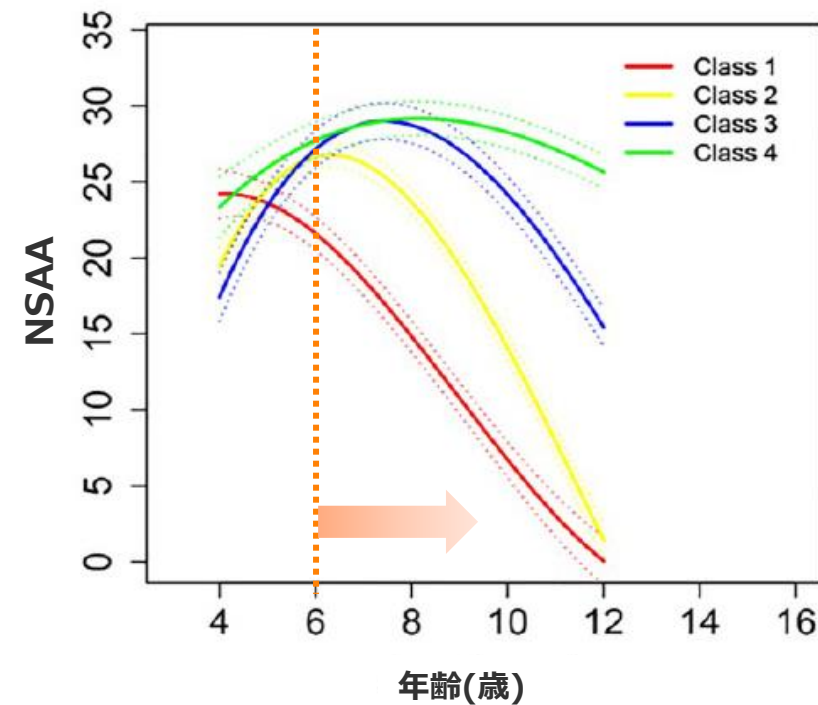
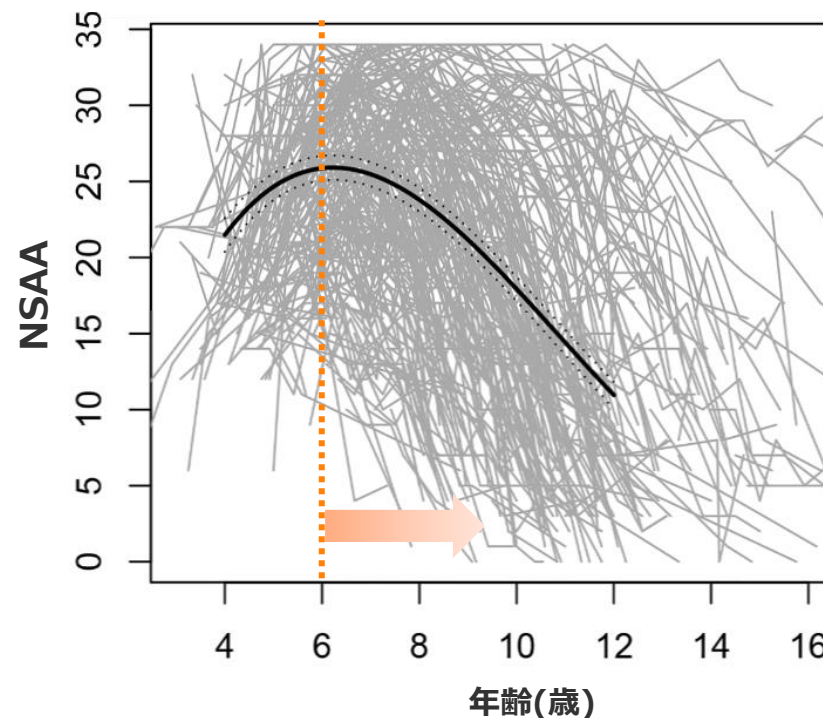
6歳以上

＜主要評価項目＞

NSAA

＜投与期間＞

96週



(PLOS ONE 2019, Muntoni)

＜組み入れ基準、条件設定＞

- ・ベースラインのNSAAスコアの範囲を規定



患者の病状進行による運動機能変化の異質性を低減

- ・ステロイドの前投与期間および試験期間を通した投与量/レジメンを厳密に規定

*本スライドは現時点での当社の想定であり、最終的な試験デザインは今後FDAとの協議を経て決定されます。

新製品の紹介

常務取締役 営業担当 佐野 省三



抗悪性腫瘍剤 可逆的非共有結合型BTK^注阻害剤
注)BTK:Bruton's Tyrosine Kinase (ブルトン型チロシンキナーゼ)

薬価基準収載

ジャイパーカ[®]錠 50mg
100mg

Jaypirca[®] Tablets 50,100mg

ピルトブルチニブ錠

劇薬 処方箋医薬品*

*注意－医師等の処方箋により使用すること

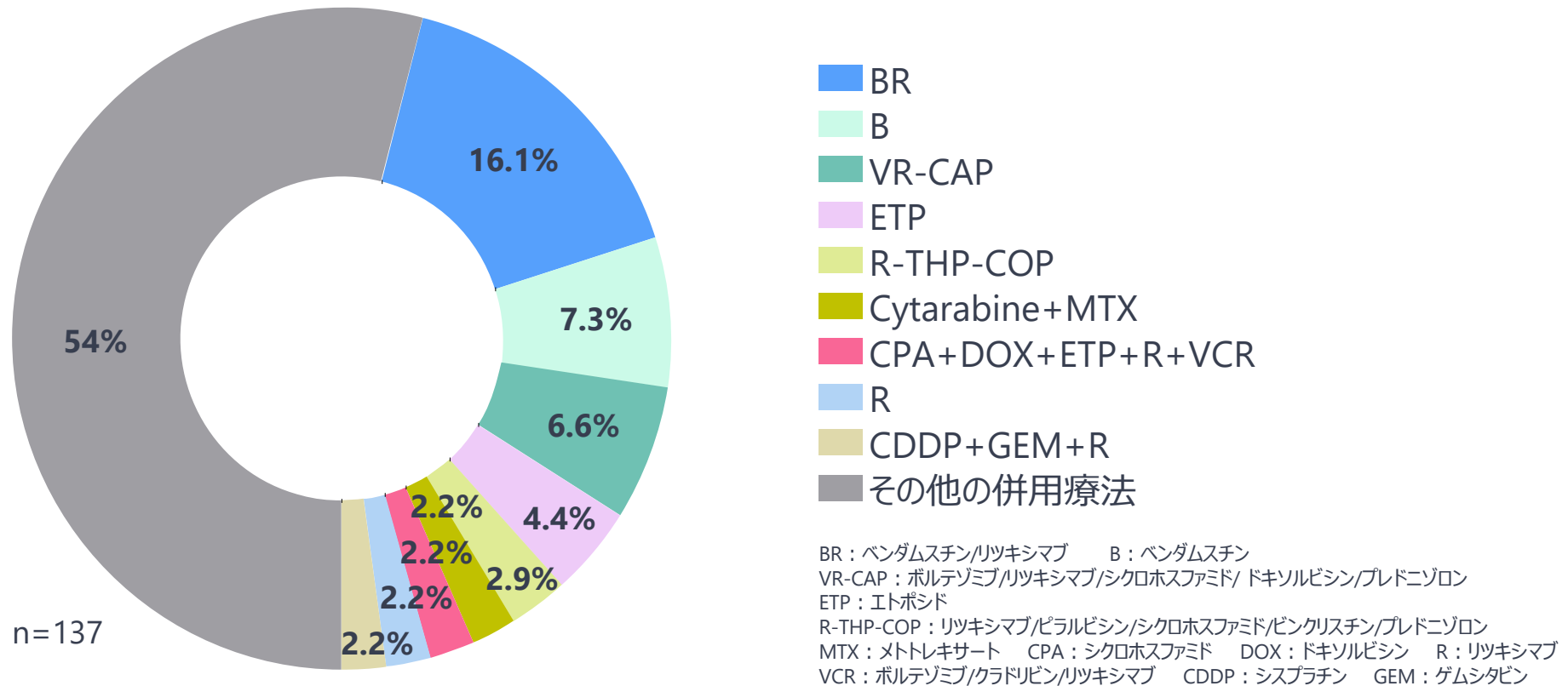
製品概要

販売名	ジャイパーカ錠50mg			ジャイパーカ錠100mg		
一般名	ピルトブルチニブ					
薬価	10,201.00円			19,465.80円		
性状・剤形	青色三角形のフィルムコーティング錠			青色円形のフィルムコーティング錠		
外形	表面 	裏面 	側面 	表面 	裏面 	側面 
効能又は効果	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（MCL）					
用法・用量	通常、成人にはピルトブルチニブとして200mgを1日1回経口投与する。 なお、患者の状態により適宜減量する。					
製造販売承認 取得日	2024年6月24日					
薬価収載日	2024年8月15日					
発売日	2024年8月21日					
製造販売元	日本イーライリリー株式会社					
販売	日本新薬株式会社					

再発・難治性マントリンパ腫に対する薬物療法

再発・難治性マントリンパ腫を対象とした日本のリアルワールドデータにおいて、共有結合型BTK阻害剤による治療中止後の次治療は、様々な薬剤が試みられていた。

＜共有結合型BTK阻害剤中止後の次治療：各治療の内訳と割合＞



※ 本邦で承認されているボルテゾミブとの併用療法は、リツキシマブ+シクロホスファミド+ドキシソルビシン+プレドニゾロン（VcR-CAP療法）である。なお、ボルテゾミブの後発品はMCLに対して本邦未承認。
メトトレキサートはMCLに対して本邦未承認。

ジャイパーカ®錠とは

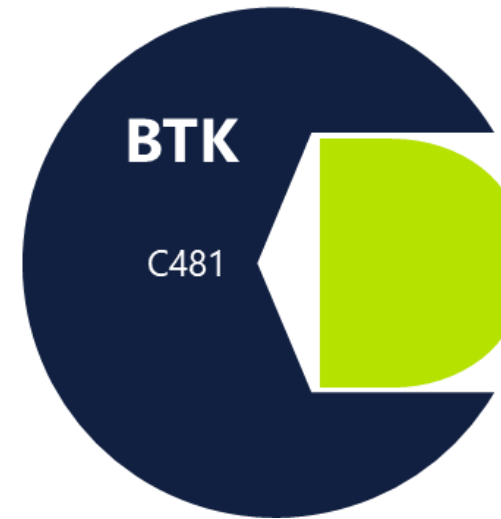
現在、国内外で承認されているBTK阻害剤は、BTKのATP結合ポケット内にあるC481に共有結合する。¹⁾

一方、ジャイパーカは、ATP結合ポケット内でC481とは異なる複数のアミノ酸に非共有結合するため、C481S変異が生じた場合でもBTK経路を阻害することが報告されている。^{2,3)}

共有結合型BTK阻害剤



可逆的非共有結合型BTK阻害剤
(ピルトブルチニブ)



1) Thompson PA, Tam CS. Blood. 2023; 141: 3137-3142. [利益相反：著者にイーライリリー社より研究資金、コンサルタント料等を受領しているものが含まれる。]

2) 社内資料：ピルトブルチニブの薬理試験

3) Gomez EB, et al. Blood. 2023; 142: 62-72. [利益相反：本研究はイーライリリー社の資金により行われ、著者は同社の社員である。]

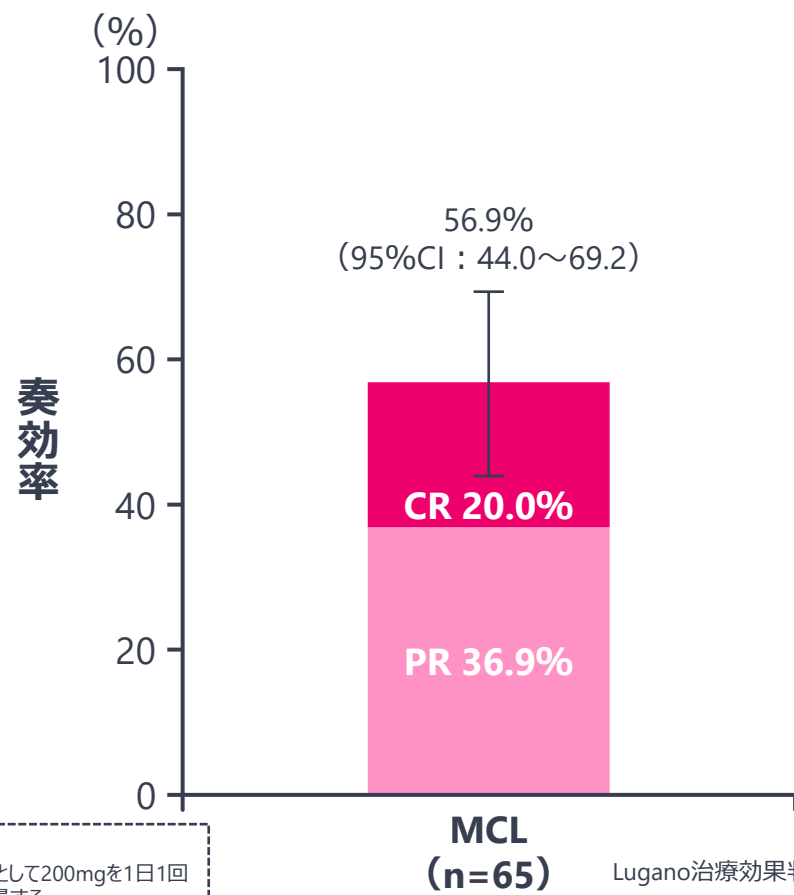
4) Schultze MD, et al. Ann Pharmacother. 2024 [Epub ahead of print].

図は1), 2), 4) より作成

奏効率 [主要評価項目]、最良総合効果 [副次評価項目]

他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性のMCL患者において奏効率は56.9%（95%CI：44.0～69.2）であり、95%CIの下限值は事前に設定した閾値である20%を上回っていた。

● 奏効率（CR+PR）



用量探索試験を含む*
* 6. 用法及び用量 通常、成人にはピルトブルチニブとして200mgを1日1回経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。

● 最良総合効果の内訳

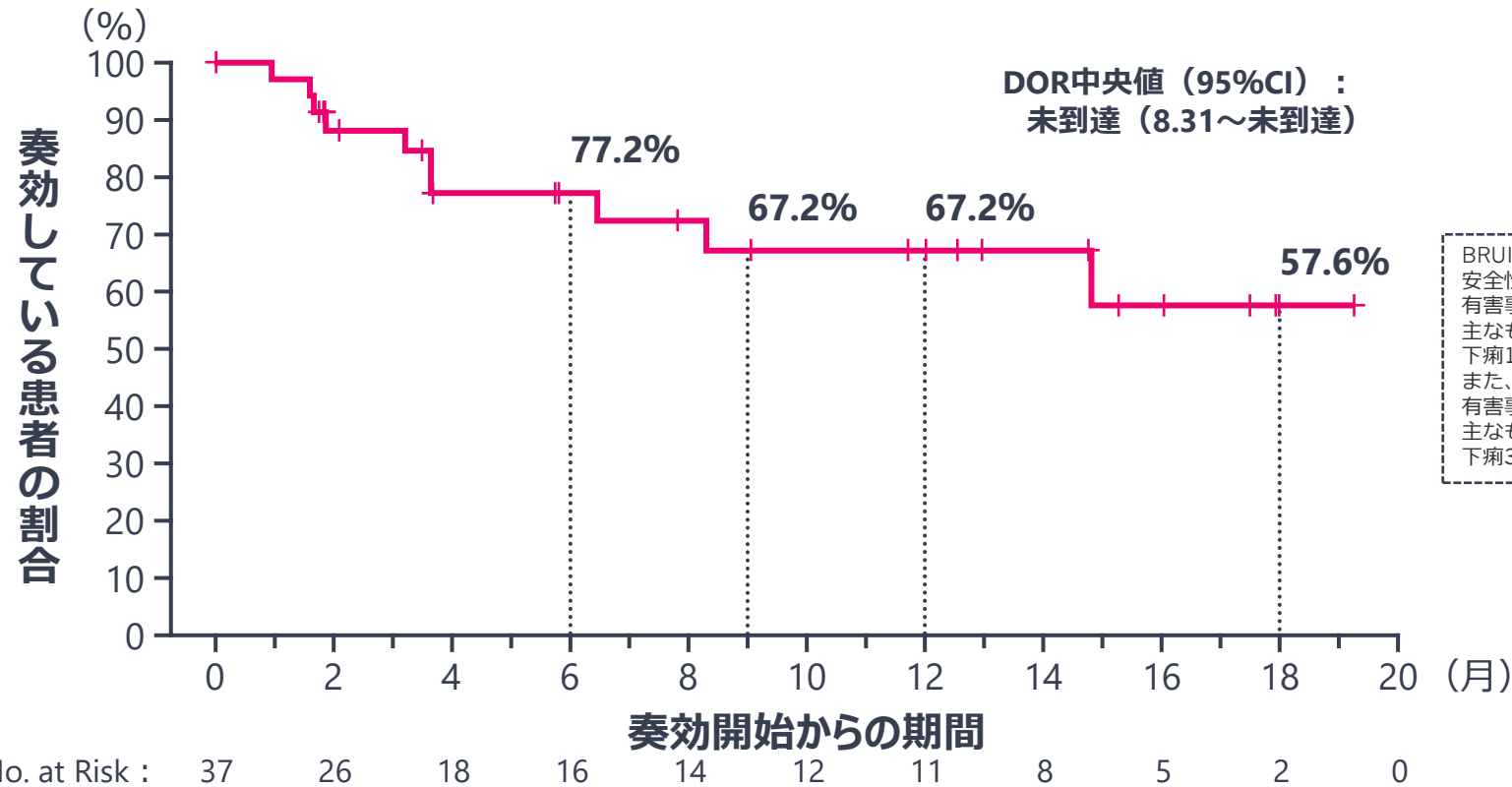
	MCL (n=65)
完全奏効（CR）	13（20.0）
部分奏効（PR）	24（36.9）
安定（SD）	9（13.8）
病勢進行（PD）	10（15.4）
評価不能（NE）	9（13.8）
n（%）	

本第 I / II 相試験は検証的臨床試験ではないが、本試験にて得られた有効性及び安全性の結果を元に本邦では承認された。

奏効期間 [副次評価項目]

奏効期間（DOR）の中央値は未到達（95%CI：8.31～未到達）であり、18カ月時点で奏効が持続していた患者の割合は57.6%だった。

DORのKaplan-Meier曲線、奏効例（n=37）



BRUIN-18001試験において、安全性解析対象集団725例中681例（93.9%）に有害事象が認められた。主なもの（15%以上）は、疲労191例（26.3%）、下痢160例（22.1%）及び挫傷138例（19.0%）。また、MCL患者では、164例中146例（89.0%）に有害事象が認められた。主なもの（15%以上）は、疲労49例（29.9%）、下痢35例（21.3%）及び呼吸困難27例（16.5%）。

用量探索試験を含む*
* 6. 用法及び用量 通常、成人にはビルトブルチニブとして200mgを1日1回経口投与する。なお、患者の状態により適宜減量する。

フォローアップ期間中央値
9.10カ月（四分位範囲：3.52～15.31）

Lugano治療効果判定基準に基づく独立評価委員会（IRC）評価
データカットオフ①



エンドセリン受容体結抗薬／ホスホジエステラーゼ5阻害剤 [承認済中未収載]

ユバンシ® 配合錠

Yuvanci® Combination Tablets マシテンタン・タダラフィル配合錠

【新薬】 処方箋医薬品

発売準備中

※主成分の効力により使用すること

ユバンシ®配合錠の開発の背景

近年、さまざまな肺血管拡張薬が開発され、作用機序の異なる薬剤の併用療法に関するエビデンスが蓄積されてきたことから、本邦の肺高血圧症治療ガイドライン¹⁾では、低リスク患者（NYHA/WHO機能分類Ⅰ～Ⅱ度）の一部と、中リスク患者（NYHA/WHO機能分類Ⅱ～Ⅲ度）、高リスク患者（NYHA/WHO機能分類Ⅳ度）には2剤又は3剤を組み合わせた初期併用療法が推奨されている。また、初期治療の臨床的反応が不十分な場合は追加併用療法が検討される。

ESC/ERS肺高血圧症診断・治療ガイドライン²⁾においても、「心肺疾患を有さないIPAH、HPAH、DPAHに対し、マシテンタン及びタダラフィルの初期併用治療」がクラスⅠとして推奨されている※。

マシテンタン及びタダラフィルを含有成分とする配合剤の導入は、服薬錠数を削減し、処方を単純化することで利便性が向上する可能性があることから、ユバンシ®配合錠の開発が進められた。

※初期併用療法においては、各薬剤の忍容性を確認してから慎重に併用を開始することとされている³⁾。

1) 日本循環器学会. 肺高血圧症治療ガイドライン（2017年改訂版）https://www.j-circ.or.jp/cms/wp-content/uploads/2017/10/JCS2017_fukuda_h.pdf（2024年9月閲覧）, 2) Humbert M, et al. Eur Respir J. 2023; 61: 2200879., 3) Burks M, et al. Am J Cardiovasc Drugs. 2018; 18: 249-257.

参考

ESC/ERS肺高血圧症診断・治療ガイドラインにおける初期療法
初期経口併用療法に関する推奨（心肺疾患を有さないIPAH/HPAH/DPAH）

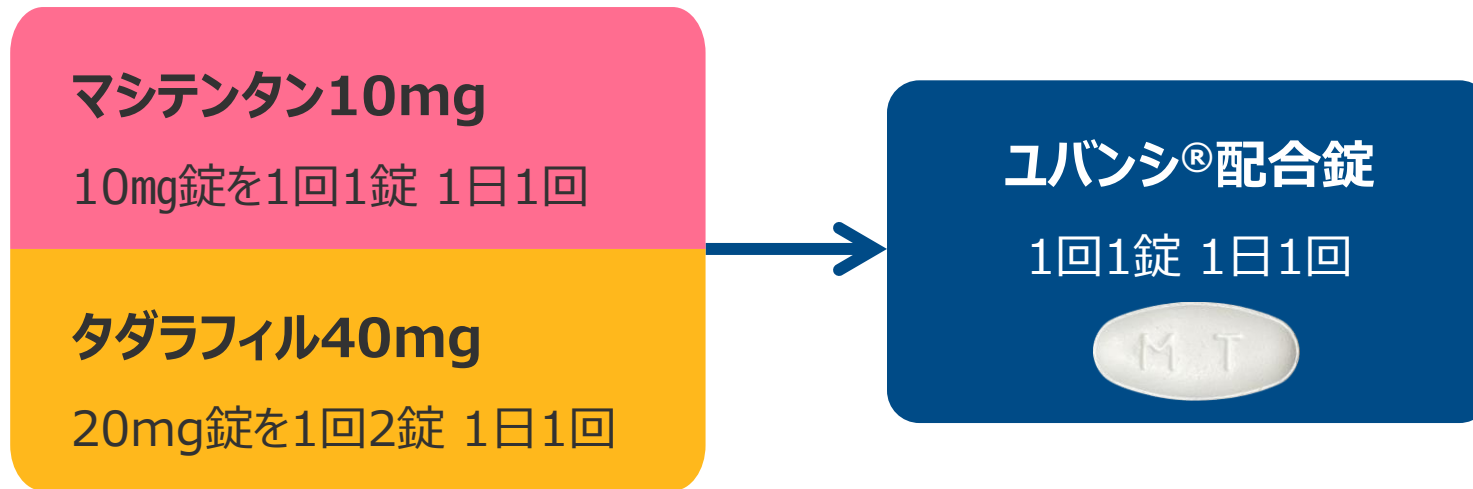
推奨	クラス ^a	レベル ^b
アンブリセンタンとタダラフィルの初期併用療法が推奨される	Ⅰ	B
マシテンタンとタダラフィルの初期併用療法が推奨される	Ⅰ	B
その他のERAとPDE5阻害薬の初期併用療法を考慮すべきである	Ⅱ a	B
マシテンタン、タダラフィルおよびセレキシパグの初期併用療法は推奨されない	Ⅲ	B

a : 推奨クラス b : エビデンスレベル

ユバンシ®配合錠とは

ユバンシ®配合錠は、エンドセリン受容体拮抗薬（ERA）であるマシテンタンと選択的ホスホジエステラーゼ5（PDE5）阻害剤であるタダラフィルを含有する肺動脈性肺高血圧症の治療薬として、日本で初めて承認された経口配合剤

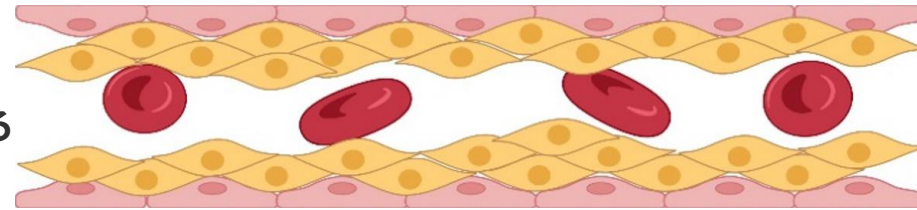
マシテンタン10mg及びタダラフィル40mgを含有する配合錠で、1日1回1錠を服用



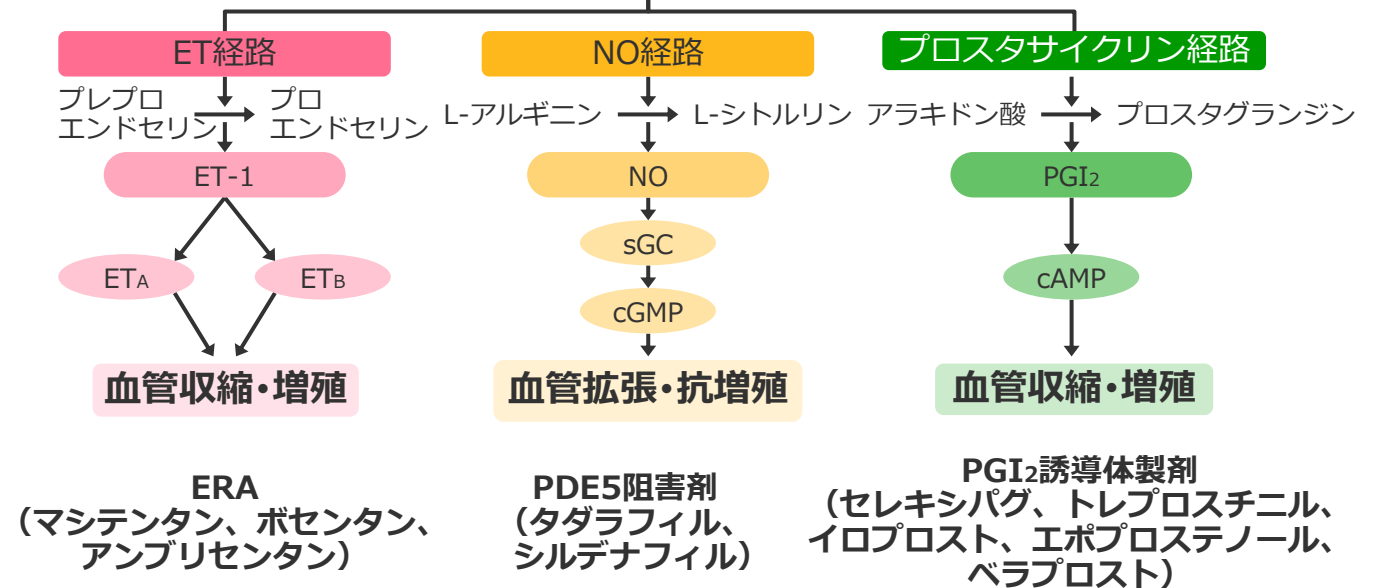
肺動脈性肺高血圧症（PAH）治療に関わる経路とユバンシ®配合錠

ユバンシ®配合錠は、
ERAのマシテンタンと
PDE5阻害剤の
タダラフィルを含有

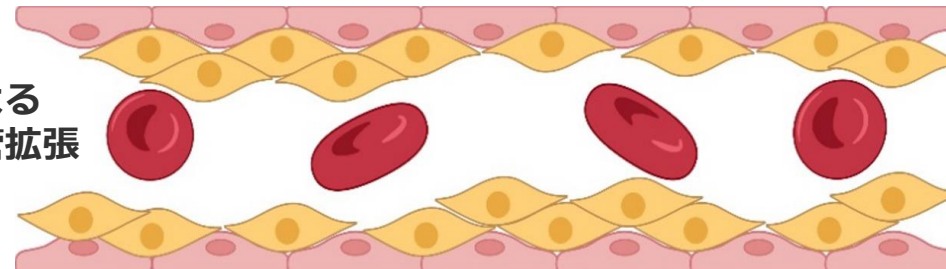
PHにおける
肺動脈の
血管収縮による
血流障害



血管内皮細胞



薬物治療による
肺動脈の血管拡張

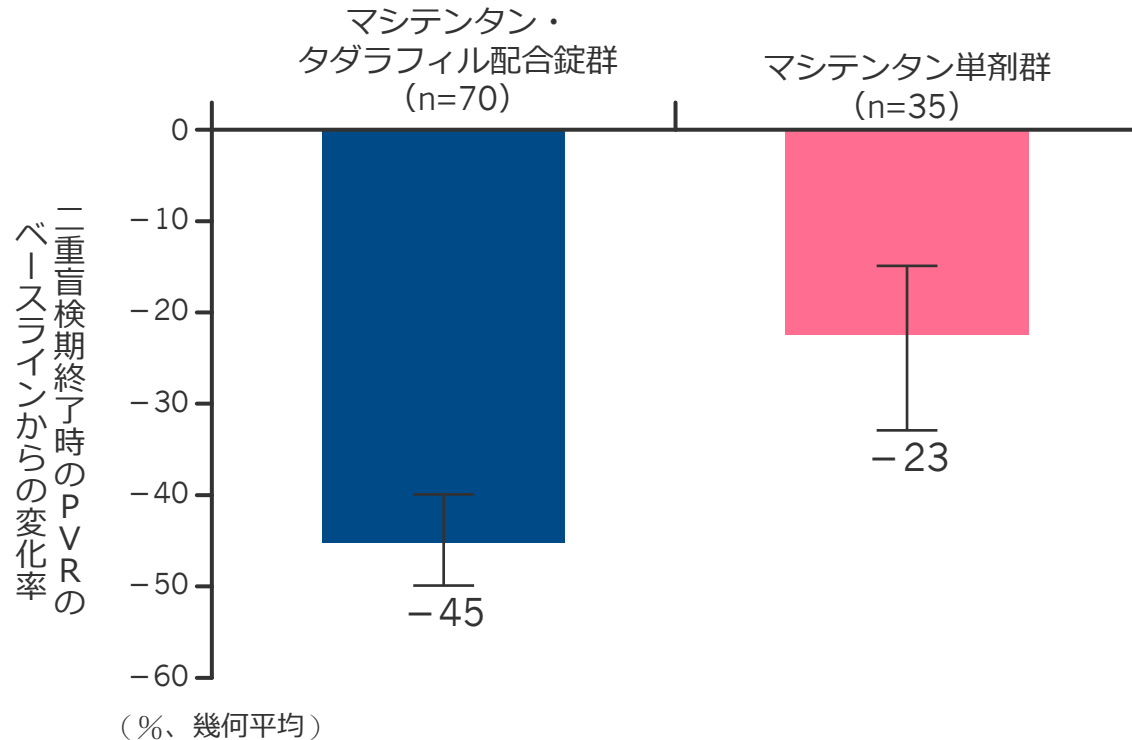


cAMP : サイクリックアデノシン1リン酸、
cGMP : サイクリックグアノシン1リン酸、ET : エンドセリン、
ERA : エンドセリン受容体拮抗薬、NO : 一酸化窒素、
PDE5 : ホスホジエステラーゼ5、PGI₂ : プロスタサイクリン、
sGC : 可溶性グアニル酸シクラーゼ

ユバンシ®配合錠「A DUE試験」(PⅢ試験)

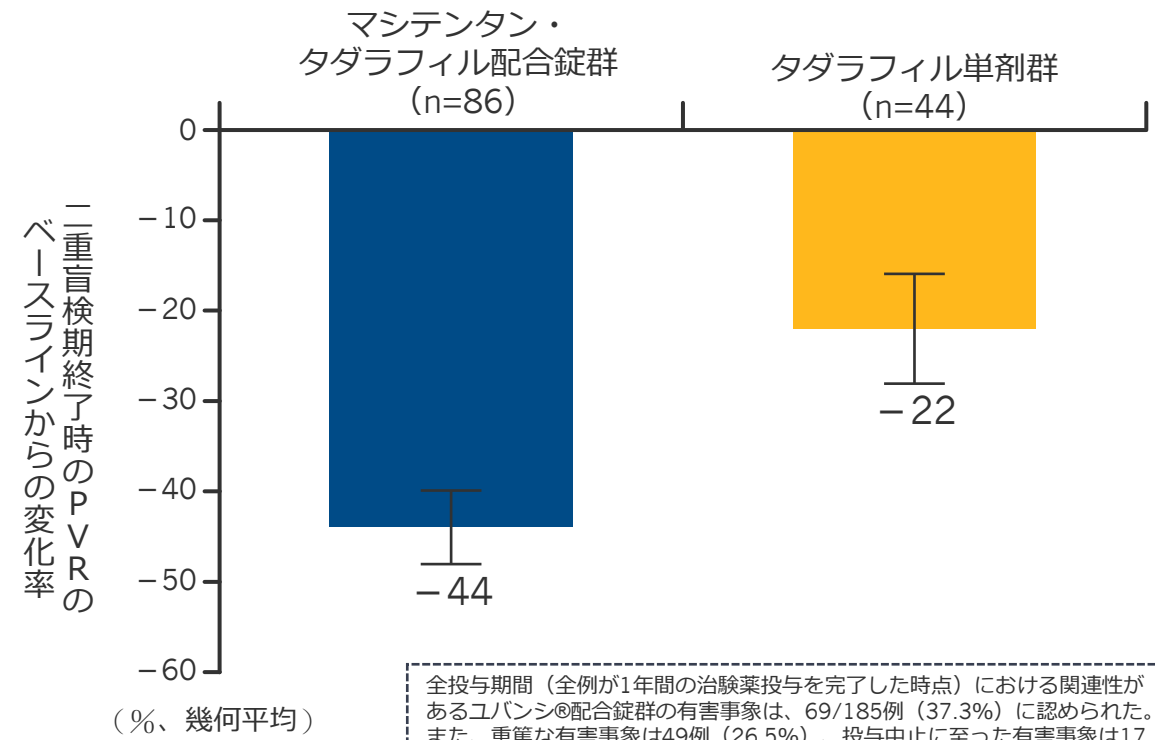
マシテンタン・タダラフィル各単剤群との比較においてユバンシ®配合錠群で肺血管抵抗 (PVR) が有意に改善したことから、各単剤療法に対するユバンシ®配合錠の優越性が検証された。

マシテンタン・タダラフィル配合錠群 vs
マシテンタン単剤群 (16週投与)
幾何平均比 (95%信頼限界) :
0.71 (0.61~0.82) ; P<0.0001



※図中のマシテンタン・タダラフィル配合錠群は、ユバンシ®配合錠群を示す。

マシテンタン・タダラフィル配合錠群 vs
タダラフィル単剤群 (16週投与)
幾何平均比 (95%信頼限界) :
0.72 (0.64~0.80) ; P<0.0001

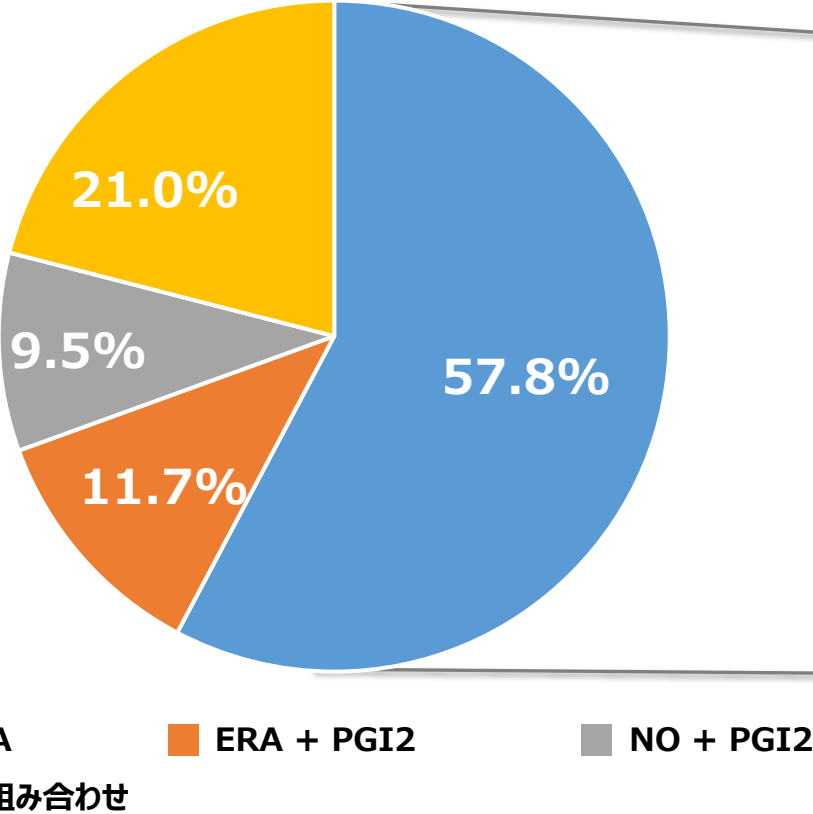


全投与期間 (全例が1年間の治験薬投与を完了した時点) における関連性があるユバンシ®配合錠群の有害事象は、69/185例 (37.3%) に認められた。また、重篤な有害事象は49例 (26.5%)、投与中止に至った有害事象は17例 (9.2%)、死亡に至った有害事象は4例 (2.2%) にみられた。

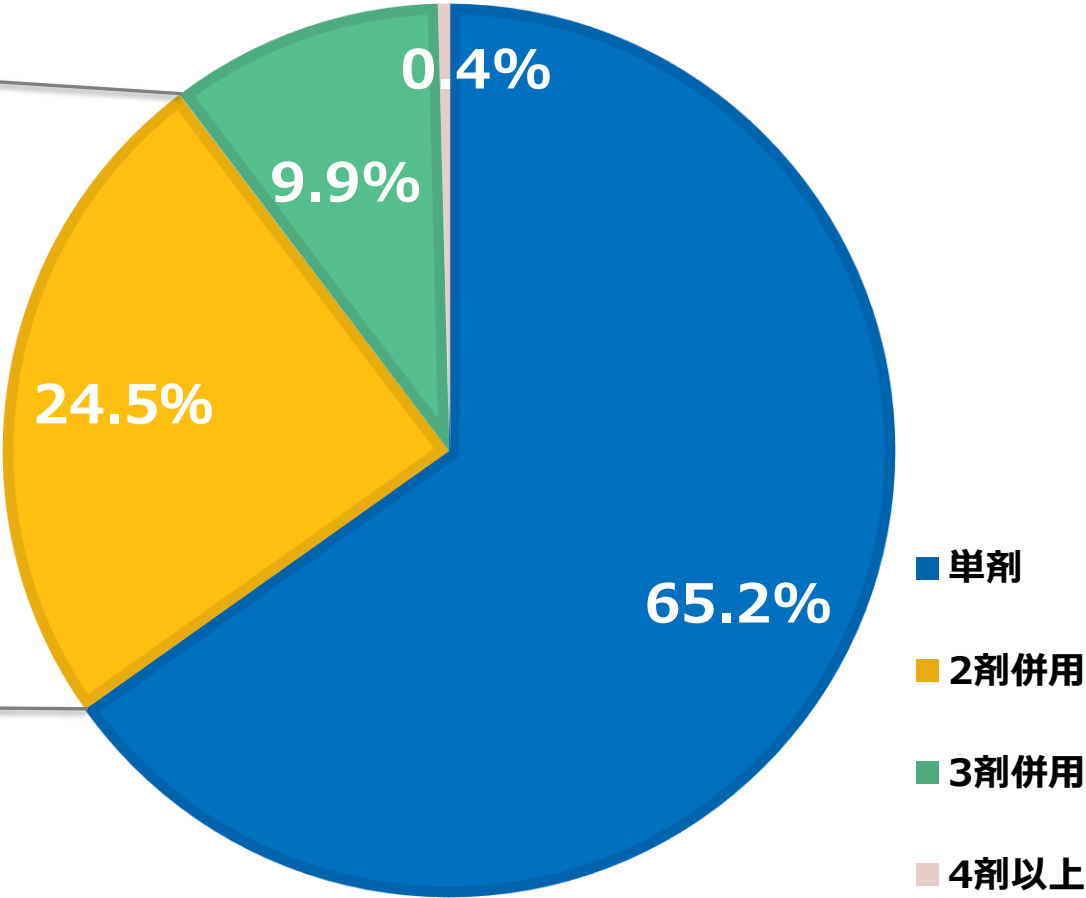
国内における肺高血圧市場の状況（推計患者割合）

IQVIAデータ（IQVIA Rx_MAT2024/03）をもとに推計患者割合を計算して作成 Copyright © 2024 IQVIA. 無断転載禁止

2剤併用 治療状況



PAH治療薬 併用状況



NO：タダラフィル、シルデナフィル、リオシグアト ERA：マシテンタン、ボセンタン、アンプリセンタン
PGI2：セレキシバグ、トレプロスチニル、イロプロスト、エボプロステノール、ベラプロスト
(各薬剤の推定患者数には、後発品の処方も含む)

参考資料

医薬品売上収益の内訳

		2023年度 2Q (4-9月) 実績	2024年度 2Q (4-9月) 実績	差異	増減率	2024年度 予想	(百万円)
製品名	薬 効						
ビルテプソ		8,358	11,002	+2,643	+31.6%	21,400	
(内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(2,188)	(2,319)	(+131)	(+6.0%)	(4,600)	
(内. 米国)		(6,169)	(8,682)	(+2,512)	(+40.7%)	(16,800)	
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	6,465	7,474	+1,008	+15.6%	15,000	
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	5,526	2,757	△2,769	△50.1%	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	2,439	2,452	+13	+0.5%	4,800	
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病治療剤	-	2,236	+2,236	-	4,600	
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	2,080	1,470	△609	△29.3%	2,700	
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	1,099	1,277	+178	+16.3%	2,400	
シアリス	勃起不全（ED）治療剤	1,250	1,219	△31	△2.5%	2,400	
ザルティア	前立腺肥大症に伴う排尿障害改善剤	1,161	903	△258	△22.2%	1,600	
アドシルカ	肺動脈性肺高血圧症治療剤	1,190	893	△297	△25.0%	1,600	
エリザス	アレルギー性鼻炎治療剤	584	511	△73	△12.5%	2,000	
共同販促収入		4,404	4,700	+295	+6.7%	9,400	
工業所有権等収益		18,580	22,655	+4,074	+21.9%	44,100	
医薬品合計		60,988	68,496	+7,507	+12.3%	135,500	

業績予想における2024年度下期の為替レートは1USD=140円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約2億円増加を想定。

機能食品売上収益予想の内訳

(百万円)	2023年度 2Q (4-9月)		2024年度 2Q (4-9月)		差異	増減率	2024年度 予想
	実績	売上比	実績	売上比			
プロテイン製剤	8,487	68.9%	6,893	63.6%	△1,594	△18.8%	13,000
品質安定保存剤	1,522	12.3%	1,620	15.0%	+97	+6.4%	3,200
サプリメント	987	8.0%	1,202	11.1%	+215	+21.8%	3,100
健康食品素材	659	5.4%	487	4.5%	△171	△26.1%	1,100
その他	668	5.4%	632	5.8%	△36	△5.4%	1,100
機能食品合計	12,325	100.0%	10,836	100.0%	△1,489	△12.1%	21,500

財政状況

(百万円)	2023年度 2Q 前中間会計期間末	2024年度 2Q 当中間会計期間末	差異		2023年度 2Q 前中間会計期間末	2024年度 2Q 当中間会計期間末	差異
資産	263,404	268,542	+5,138	負債	42,870	33,290	△9,579
(流動資産)	164,285	159,826	△4,458	(流動負債)	37,336	27,712	△9,624
(非流動資産)	99,119	108,716	+9,596	(非流動負債)	5,533	5,578	+45
				資本	220,534	235,252	+14,718
合 計	263,404	268,542	+5,138	合 計	263,404	268,542	+5,138

= 資産の部 =

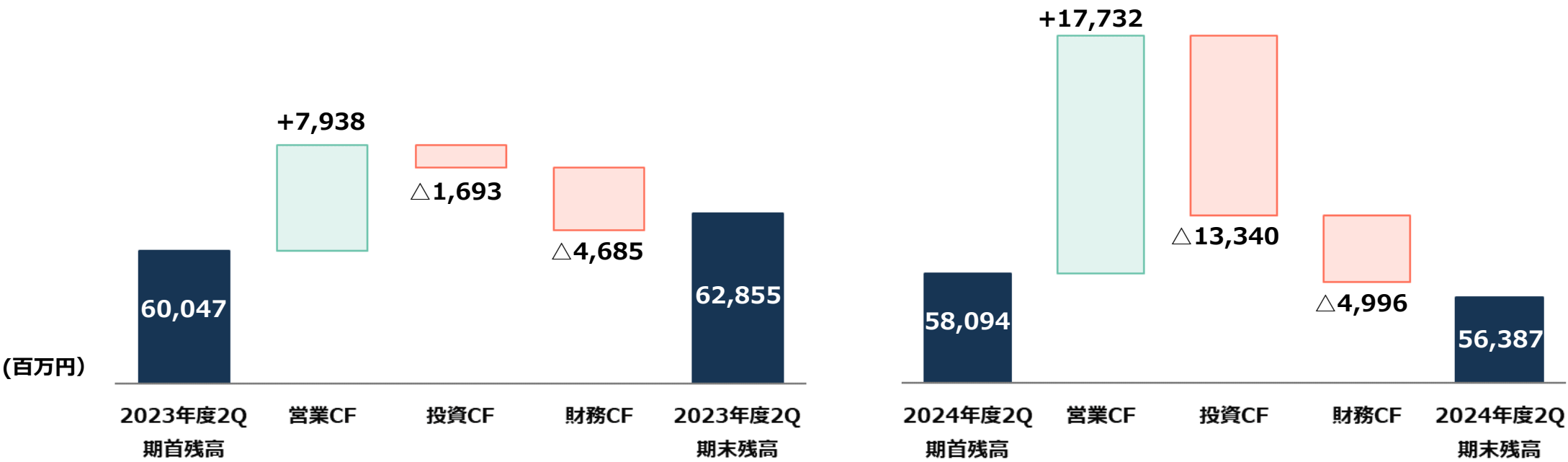
現金及び現金同等物	△1,706
無形資産	+3,959
その他の金融資産（非流動）	+6,961

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	△7,077
未払法人所得税	△2,038
利益剰余金	+12,197

キャッシュフローの状況

(百万円)	2023年度 2Q (4-9月) 期末実績	2024年度 2Q (4-9月) 期末実績	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	+7,938	+17,732	+9,794
投資活動によるキャッシュ・フロー	△1,693	△13,340	△11,646
財務活動によるキャッシュ・フロー	△4,685	△4,996	△311
現金及び現金同等物の期末残高	+62,855	+56,387	△6,467



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	—	日本・米国
発売準備中	ACT-064992D (マシentan/タダラフィル)	共同販促 ヤンセンファーマ株式会社	新成分	肺動脈性肺高血圧症	承認：2024年9月	日本
申請中	NS-304 (セレキシバグ)	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
段階的 承認申請	CAP-1002 (deramioceI)	提携 カブ°リコール・セラピ°ーティクス社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	申請完了：2024年末	米国
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携 イーシービー社	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 中外製薬株式会社	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 (deramioceI)	提携 カブ°リコール・セラピ°ーティクス社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国
	LY3527727 (ビルトブルチニブ)	アライアンス 日本イーライリリ株式会社	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 (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：2025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 (プロギシルセン)	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	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 (タケラキソフ°)	導入 メリーニ社	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
	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	日本・米国
P I	NS-917 (radgocitabine)	導入 デルタライフアーム株式会社	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：ユーシービージャパン株式会社が実施

2019/3 ユーシービージャパン株式会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
<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

段階的承認申請中（デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症）

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心筋症
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 一時中断

〈CP/ CPPS〉 PⅡa試験 一時中断

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

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： P I 試験

開発形態： 自社開発 2017/3 Delta-Fly Pharma株式会社より導入

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。