

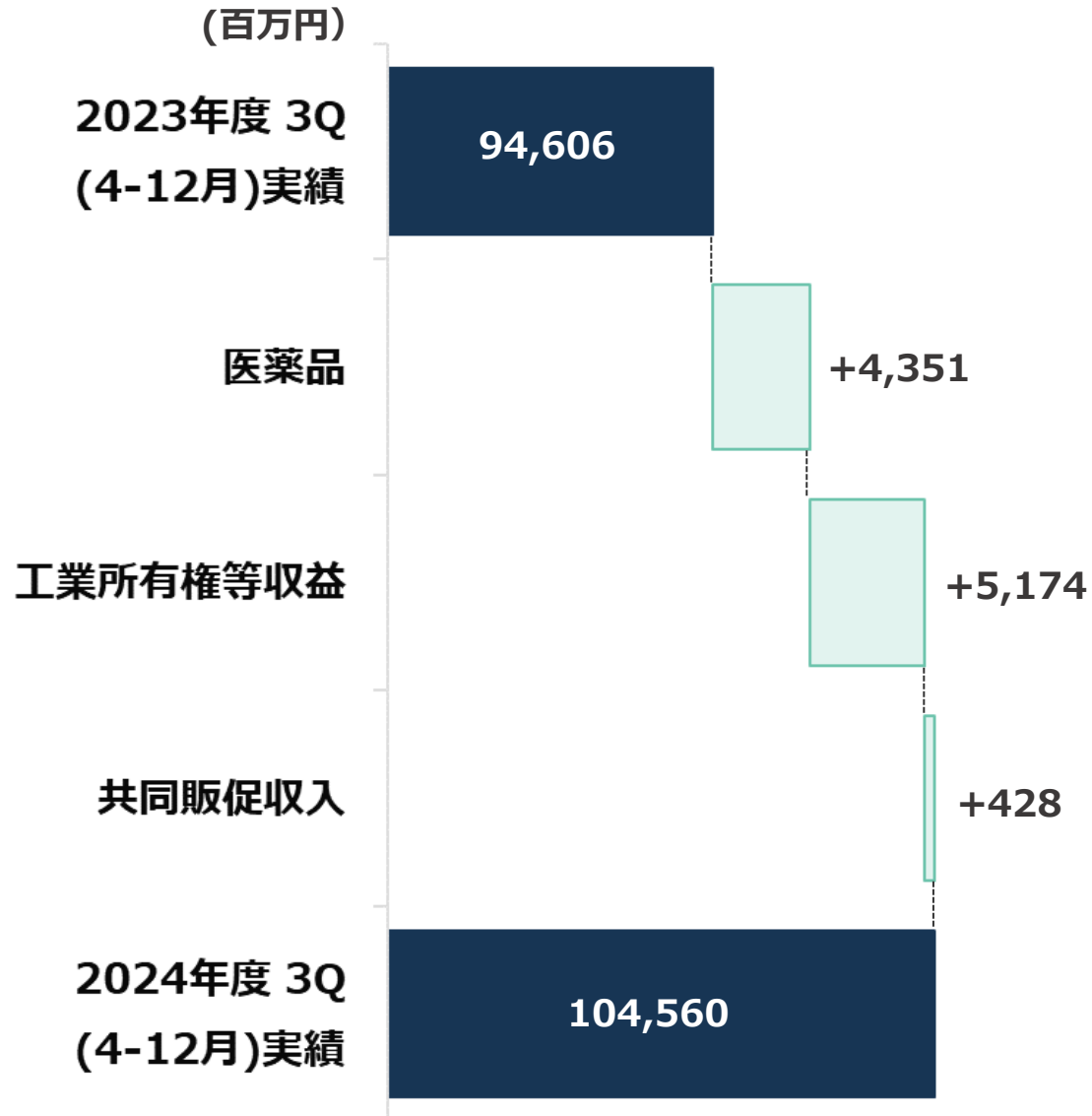
2024年度 第3四半期 決算説明会

2025年2月7日
日本新薬株式会社

2024年度 3Q（4-12月）概要

(百万円)	2023年度 3Q (4-12月)		2024年度 3Q (4-12月)		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	112,728	100.0%	121,320	100.0%	+8,592	+7.6%
（医薬品）	(94,606)	(83.9%)	(104,560)	(86.2%)	(+9,954)	(+10.5%)
（機能食品）	(18,121)	(16.1%)	(16,759)	(13.8%)	(△1,361)	(△7.5%)
売上原価	38,613	34.3%	38,810	32.0%	+196	+0.5%
販売費及び一般管理費	25,741	22.8%	27,562	22.7%	+1,821	+7.1%
研究開発費	19,500	17.3%	23,547	19.4%	+4,047	+20.8%
その他の収益	1,887	1.7%	1,725	1.4%	△161	△8.6%
（為替差益）	(1,361)	(1.2%)	(1,058)	(0.9%)	(△302)	(△22.3%)
その他の費用	309	0.3%	371	0.3%	+61	+19.9%
営業利益	30,450	27.0%	32,752	27.0%	+2,302	+7.6%
金融収益	611	0.5%	774	0.6%	+162	+26.6%
金融費用	89	0.1%	89	0.0%	+0	+0.1%
税引前四半期利益	30,973	27.5%	33,438	27.6%	+2,464	+8.0%
法人所得税費用等	6,970	6.2%	4,885	4.0%	△2,085	△29.9%
親会社の所有者に帰属する四半期利益	24,002	21.3%	28,552	23.5%	+4,549	+19.0%

医薬品売上収益の内訳



● **医薬品 63,357百万円**
(対前年同期比 +4,351百万円 +7.4%)

- ✓ 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
- ✓ ビルテプソの米国売上に円安が寄与

● **工業所有権等収益 34,071百万円**
(対前年同期比 +5,174百万円 +17.9%)

- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入伸長および円安が寄与

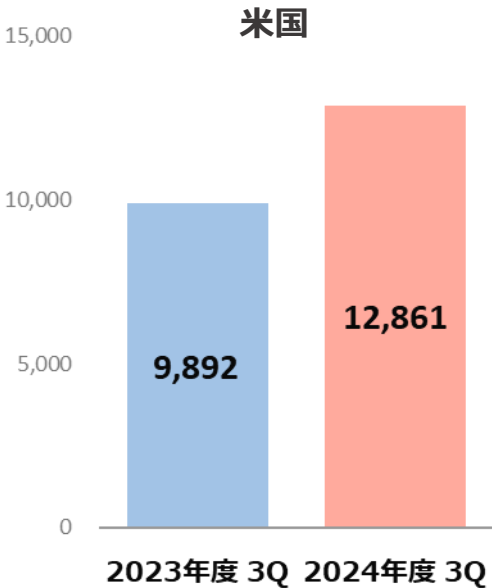
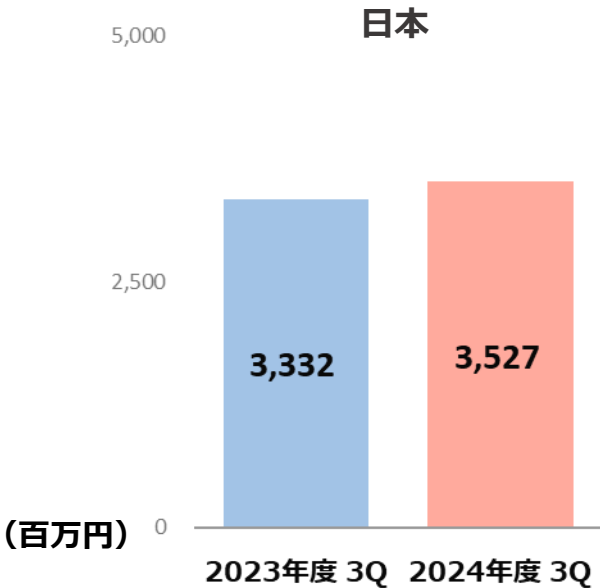
● **共同販促収入 7,132百万円**
(対前年同期比 +428百万円 +6.4%)

- ✓ オプスミット、アーリーダの伸長
- ✓ ユバンシが11月発売

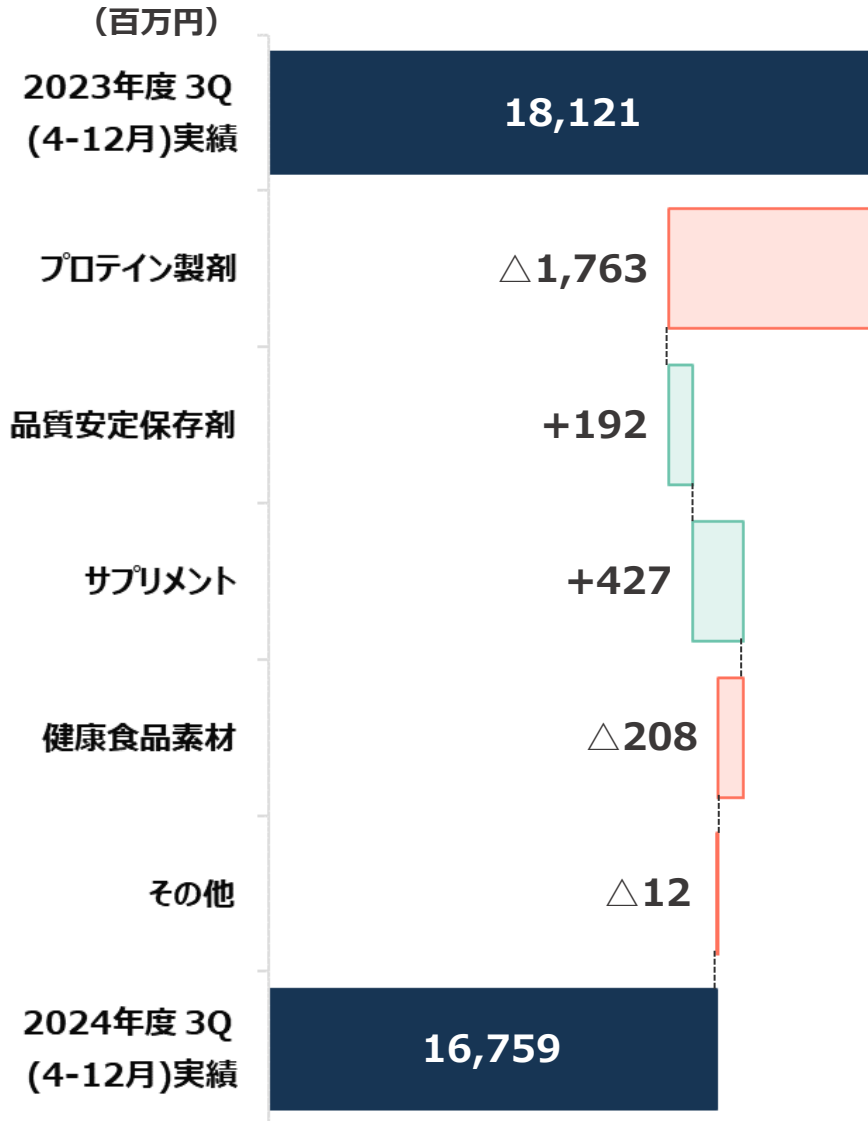
ビルデプソの売上

(百万円)	2023年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 3Q (4-12月) 実績	差異	増減率	
日本	3,332	3,527	+195	+5.9%	✓ 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
ビルデプソ 米国	9,892	12,861	+2,969	+30.0%	✓ 投与患者及び投与希望患者数は増加 ✓ 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	13,225	16,389	+3,164	+23.9%	

為替	2023年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 3Q (4-12月) 実績
1USD	143.3円	152.6円



機能食品売上収益の内訳



●**プロテイン製剤** 10,556百万円
(対前年同期比 △1,763百万円 △14.3%)

- ✓ 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** 2,576百万円
(対前年同期比 +192百万円 +8.1%)

- ✓ 観光や外食産業の回復が進む

●**サプリメント** 1,893百万円
(対前年同期比 +427百万円 +29.2%)

- ✓ スポーツ選手を中心に若年層、シニア層の新たな需要増
- ✓ 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** 748百万円
(対前年同期比 △208百万円 △21.8%)

営業利益

(百万円)
2023年度 3Q
(4-12月) 営業利益

30,450

売上収益

+8,592

売上原価

△196

販売費及び
一般管理費

△1,821

研究開発費

△4,047

その他の収益

△161

その他の費用

△61

2024年度 3Q
(4-12月) 営業利益

32,752

●売上収益 121,320百万円
(対前年同期比 +8,592百万円 +7.6%)

- ✓ 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 38,810百万円
(対前年同期比 +196百万円 +0.5%)
原価率：2.3ポイント改善

- ✓ 工業所有権等収益や医薬・食品事業構成比等の要因により改善

●販管費 27,562百万円
(対前年同期比 +1,821百万円 +7.1%)

- ✓ 人件費、ウプトラビの売上増加に伴う販促活動委託料の増加
- ✓ 日本および米国販売費用の増加

●研開費 23,547百万円
(対前年同期比 +4,047百万円 +20.8%)

- ✓ 委託研究費および治験薬製造費用等の増加

予想損益計算書（連結）

為替（円、対USD）

(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%	160,000	100.0%	+11,745	+7.9%
（医薬品）	(125,105)	(84.4%)	(138,500)	(86.6%)	(+13,395)	(+10.7%)
（機能食品）	(23,150)	(15.6%)	(21,500)	(13.4%)	(△1,650)	(△7.1%)
売上原価	50,234	33.9%	51,300	32.1%	+1,066	+2.1%
販売費及び一般管理費	34,959	23.6%	38,700	24.2%	+3,741	+10.7%
研究開発費	31,676	21.4%	34,300	21.4%	+2,624	+8.3%
その他の収益	3,163	2.1%	1,000	0.6%	△2,163	△68.4%
その他の費用	1,252	0.7%	700	0.4%	△552	△44.1%
営業利益	33,295	22.5%	36,000	22.5%	+2,705	+8.1%
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%	36,600	22.9%	+2,984	+8.9%
法人所得税費用等	7,765	5.2%	5,100	3.2%	△2,665	△34.3%
親会社の所有者に帰属する当期利益	25,851	17.4%	31,500	19.7%	+5,649	+21.9%

2023年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 4Q 予想
143.3	152.6	150.0

業績予想における2024年度4Qの為替レートは1USD=150円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約1億円増加、営業利益が約2億円増加を想定。

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	157,000	160,000	+3,000	+1.9%
（医薬品）	(135,500)	(138,500)	(+3,000)	(+2.2%)
（機能食品）	(21,500)	(21,500)	-	-
売上原価	50,500	51,300	+800	+1.6%
販売費及び一般管理費	39,000	38,700	△300	△0.8%
研究開発費	33,000	34,300	+1,300	+3.9%
その他の収益	900	1,000	+100	+11.1%
その他の費用	2,400	700	△1,700	△70.8%
営業利益	33,000	36,000	+3,000	+9.1%
金融収益	700	700	-	-
金融費用	100	100	-	-
税引前利益	33,600	36,600	+3,000	+8.9%
法人所得税費用等	3,600	5,100	+1,500	+41.7%
親会社の所有者に帰属する 当期利益	30,000	31,500	+1,500	+5.0%

●売上収益 160,000百万円
（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への円安の寄与
- ✓ ビキセオス等の新製品群の伸長

●販売費及び一般管理費 38,700百万円
（前回予想比 △300百万円 △0.8%）

- ✓ 一部の部門経費の節減

●研究開発費 34,300百万円
（前回予想比 +1,300百万円 +3.9%）

- ✓ ビルテプソ治験薬製造費用、導入品研開発等の増加

●その他の費用 700百万円
（前回予想比 △1,700百万円 △70.8%）

- ✓ 4Qの為替の前提を1ドル140円から150円に変更したことによる、為替差損織り込み額の減少

*2024年11月13日 2024年度第2四半期決算発表

業績予想における2024年度4Qの為替レートは1USD=150円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約1億円増加、営業利益が約2億円増加を想定。

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：前回の決算発表（2024年11月13日）からの更新

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
PⅢ試験	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	301試験の完全なデータセットを含む治験の総括報告書をFDAに提出。303試験のプロトコルはFDAと継続協議中	2024年12月
発売	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	フィンテプラ	レノックス・ガストー症候群（適応追加）	2024年3月
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
発売	ACT-064992D (マシテンタン/タダラフィル)	ユバンシ	肺動脈性肺高血圧症	2024年11月
発売（適応追加）、承認	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12月
申請	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	2024年12月（米国）
PⅡ試験開始	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	2024年2月
PⅡ試験開始	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2024年6月
PⅠ / 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	—

直近1年間のR&Dアップデート（2/2）赤字：前回の決算発表（2024年11月13日）からの更新

進捗	開発品目 (一般名)	製品名	適応症、内容等	時期
ライセンス契約 (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・インテント締結 (カプリコール・セラピューティクス社)	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・インテントを締結	2024年9月（欧州）
ライセンス契約 (アトセナ・セラピューティクス社)	ATSN-101	—	GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障	2024年11月契約締結
ライセンス契約 (リジェネクスバイオ社)	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型	2025年1月契約締結 (米国および日本含むアジア)
	RGX-111	—	ムコ多糖症Ⅰ型	
オプション契約 (AB2 BIO社)	Tadekinig alfa	—	NLRC4異常症およびXIAP欠損症	2025年1月契約締結 (米国)
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			第Ⅱ相試験（Galactic53 trial） 2024 Muscular Dystrophy Association Clinical & Scientific Conference	2024年3月
論文掲載			第Ⅱ相試験（Galactic53 trial）結果 ：Scientific Reports誌	2024年10月
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）
先駆的医薬品指定および 希少疾病用医薬品指定	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	2024年12月（日本）
論文掲載			医師主導治験（First In Human試験）結果 ：Cell Reports Medicine誌	2025年1月
希少小児疾患指定	NS-051/NCNP-04	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2025年1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

サレプタ社との訴訟について

NEWS RELEASE



2024 年 12 月 23 日
日本新薬株式会社
広 報 部

各 位

サレプタ社との米国訴訟の公判の評決結果についてのお知らせ

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」）は、デラウェア州連邦地方裁判所（デラウェア州ウィルミントン）において、2024年12月16日から20日まで行われた公判の結果、サレプタ・セラピューティクス社（Sarepta Therapeutics、以下「サレプタ社」）が西オーストラリア大学（UWA）から取得した特許（以下UWA特許）は有効であり、当社によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬であるビルテプソの販売行為に基づき、サレプタ社の損害額が115.2百万ドルであるとの陪審評決が下されたことをお知らせします。

あわせて当社の特許は無効であるとの陪審評決が下されたことをお知らせします。

当社は2021年7月14日、サレプタ社に対し、当社の知的財産を防御する目的でデラウェア州連邦地方裁判所に訴訟を提起しました。その後、サレプタ社は知的財産権の侵害を理由に反訴を提起していました。

当社は、今回の陪審評決に関する対応について、陪審審理後の申し立てや控訴を含むあらゆる選択肢を検討していきます。

なお、今回の評決結果は、ビルテプソの販売および当社が進めている他のエクソンスキッピング薬の開発に影響を及ぼすものではありません。

以上

出所：2024年12月23日 会社プレスリリース
https://www.nippon-shinyaku.co.jp/file/download.php?file_id=7997

NEWS RELEASE



2025 年 1 月 30 日
日本新薬株式会社
広 報 部

各 位

サレプタ社との日本訴訟終了についてのお知らせ

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」）は、サレプタ・セラピューティクス社（Sarepta Therapeutics, Inc.、以下「サレプタ社」）との日本訴訟（以下「本件訴訟」）が、本日2025年1月30日、サレプタ社による請求の放棄により終了しましたことをお知らせいたします。

サレプタ社は 2023年6月5日に、当社によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療剤であるビルテプソの生産・販売・輸出等の行為が、サレプタ社特許権（特許第6406782号）を侵害するとして、損害賠償を求めて東京地方裁判所に訴訟を提起しました。これに対して、当社はサレプタ社特許が無効であり、当社による特許権の侵害行為はないことを主張してきました。判決言渡が予定されていた本日2025年1月30日の期日において、サレプタ社が請求を放棄する旨を陳述したため、本件訴訟は終了しました。

「請求の放棄」とは、原告が自らの請求に理由のないことを認めて訴訟を終了させるものであり、これが裁判所の調書に記載されることで確定判決と同一の効力を有します。今回のサレプタ社の請求放棄によって、当社によるサレプタ社特許権の侵害はないことが確定しました。すなわち、実質的に当社の勝訴と同一の結果が得られたこととなります。

当社は、引き続き、DMD でお困りの患者さんやそのご家族、および医療関係者の皆さんに貢献してまいります。

以上

出所：2025年1月30日 会社プレスリリース
https://www.nippon-shinyaku.co.jp/file/download.php?file_id=8109

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 3Q (4-12月) 実績	2024年度 3Q (4-12月) 実績	差異	増減率	2024年度 通期予想
ビルテプソ		13,225	16,389	+3,164	+23.9%	21,850
(内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(3,332)	(3,527)	(+195)	(+5.9%)	(4,600)
(内. 米国)		(9,892)	(12,861)	(+2,968)	(+30.0%)	(17,250)
ウプトラビ	肺動脈性肺高血圧症治療剤 慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤	10,024	11,623	+1,599	+16.0%	15,200
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	8,329	4,111	△4,218	△50.6%	5,100
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	3,692	3,805	+113	+3.1%	4,900
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病治療剤	-	3,737	+3,737	-	4,900
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	3,142	2,179	△963	△30.7%	2,700
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	1,712	2,090	+377	+22.1%	2,400
シアリス	勃起不全（ED）治療剤	1,946	1,932	△13	△0.7%	2,400
ザルティア	前立腺肥大症に伴う排尿障害改善剤	1,788	1,235	△552	△30.9%	1,600
アドシルカ	肺動脈性肺高血圧症治療剤	1,791	1,302	△488	△27.3%	1,600
エリザス	アレルギー性鼻炎治療剤	1,038	916	△122	△11.7%	2,000
共同販促収入		6,703	7,132	+428	+6.4%	9,100
工業所有権等収益		28,897	34,071	+5,174	+17.9%	45,650
医薬品合計		94,606	104,560	+9,954	+10.5%	138,500

業績予想における2024年度4Qの為替レートは1USD=150円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約1億円増加を想定。

機能食品売上収益予想の内訳

(百万円)	2023年度 3Q (4-12月)		2024年度 3Q (4-12月)		差異	増減率	2024年度 通期予想
	実績	売上比	実績	売上比			
プロテイン製剤	12,319	68.0%	10,556	63.0%	△1,763	△14.3%	13,000
品質安定保存剤	2,383	13.1%	2,576	15.4%	+192	+8.1%	3,200
サプリメント	1,466	8.1%	1,893	11.3%	+427	+29.2%	3,100
健康食品素材	957	5.3%	748	4.5%	△208	△21.8%	1,100
その他	993	5.5%	983	5.8%	△12	△2.8%	1,100
機能食品合計	18,121	100.0%	16,759	100.0%	△1,361	△7.5%	21,500

財政状況

(百万円)	2023年度 期末実績	2024年度 3Q実績	差異		2023年度 期末実績	2024年度 3Q実績	差異
資産	263,404	284,459	+21,054	負債	42,870	36,676	△6,193
(流動資産)	164,285	162,359	△1,925	(流動負債)	37,336	29,119	△8,217
(非流動資産)	99,119	122,099	+22,980	(非流動負債)	5,533	7,556	+2,023
				資本	220,534	247,782	+27,248
合 計	263,404	284,459	+21,054	合 計	263,404	284,459	+21,054

= 資産の部 =

棚卸資産	+5,389
無形資産	+7,570
その他の金融資産	+11,716

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	△7,925
利益剰余金	+20,543
その他有価証券評価差額金	+6,852

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	NS-304 (セレキシパグ)	自社	新効能 新用量	小児肺動脈性肺高血圧症	試験終了：2025年度 承認：2024年12月	日本
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カプ・リコール・セラピー・テイクス社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	承認：2025年後半	米国
段階的 承認申請	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リシ・エクス・バイオ社	新成分	ムコ多糖症Ⅱ型	申請完了：2025年3月	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 (deramiocel)	提携 カプ・リコール・セラピー・テイクス社	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 日本イーライリリー株式会社	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 (セレキシパグ)	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	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 (タグラキソフ)	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
	ATSN-101	導入 アセ・セプーティクス社	新成分	GUCY2D遺伝子変異型 レーバー先天性黒内障	試験終了：2027年度	米国
	RGX-111	提携 リジェネクスバイオ社	新成分	ムコ多糖症 I 型	試験終了：2024年度	米国
P I	NS-917 (radgocitabine)	導入 デルタファイアーマ株式会社	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

－ 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〉

ウプトラビ®錠0.2mgおよび0.4mgに対する国内適応追加

ウプトラビ®錠小児用0.05mgの発売準備中

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

－ 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

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

－ ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 －

- 開発段階：** 米国 段階的承認申請中
- 開発形態：** リジェネクスバイオ社が実施
リジェネクスバイオ社と販売提携契約
- 作用機序：** イズロン酸-2-スルファターゼ遺伝子治療剤
- 適 応 症：** ムコ多糖症Ⅱ型
- 剤 型：** 注射剤
- 特 徴：** AAV9ベクターにイズロン酸-2-スルファターゼ (IDS) 遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDS遺伝子を送達し、IDSを産生させる
1回限りの投与で継続した効果が得られ、中枢症状にも有効であることが期待される

－ 難治てんかん治療剤 －

開発段階：〈ドラベ症候群〉 発売

〈レノックス・ガストー症候群〉 発売

〈CDKL5欠損症〉 PⅢ試験

開発形態：ユーシービー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）

－ 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

－ 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

－ 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

－GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障治療剤－

開発段階： 米国 P I / II 試験実施中

開発形態： アトセナ・セラピューティクス社が実施
 （米国）販売提携契約
 （日本）開発・販売ライセンス契約

作用機序： GUCY2D 遺伝子治療剤

適 応 症： GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障（LCA1）

剤 型： 注射剤

特 徴： ヒトGUCY2D遺伝子をAAV5ベクターに組み込んだ遺伝子治療剤であり、網膜下に投与することで正常なGUCY2D遺伝子を発現させ、光受容体の機能を回復させる
 本剤が承認されればLCA 1 に対する初の特異的かつ根本的な治療薬となる

－ ムコ多糖症Ⅰ型治療剤 －

- 開発段階：** グローバルPⅠ / Ⅱ試験
- 開発形態：** リジェネクスバイオ社が実施
リジェネクスバイオ社と販売提携契約
- 作用機序：** α-L-イズロニダーゼ遺伝子治療剤
- 適 応 症：** ムコ多糖症Ⅰ型
- 剤 型：** 注射剤
- 特 徴：** AAV9ベクターにα-L-イズロニダーゼ (IDUA)遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDUA遺伝子を送達し、IDUA酵素を産生させる
1回限りの投与で継続した効果が得られ、中枢症状にも有効であることが期待される

－ 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。