

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って、2024 年度第 3 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 3Q (4-12月) 概要

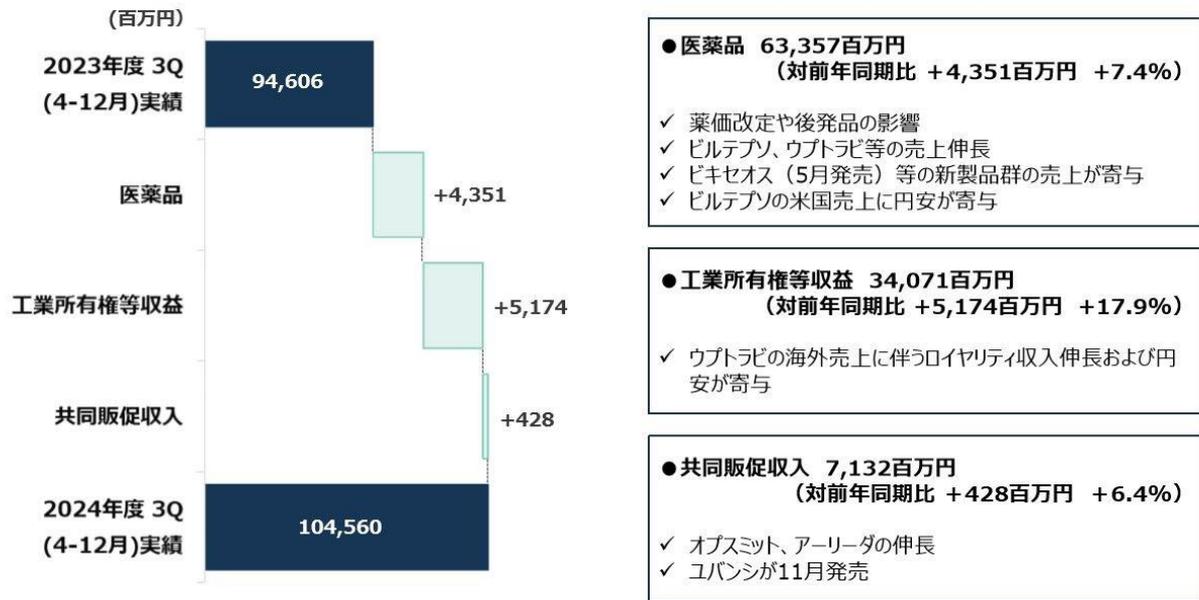
(百万円)	2023年度 3Q (4-12月)		2024年度 3Q (4-12月)		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	112,728	100.0%	121,320	100.0%	+8,592	+7.6%
（医薬品）	(94,606)	(83.9%)	(104,560)	(86.2%)	(+9,954)	(+10.5%)
（機能食品）	(18,121)	(16.1%)	(16,759)	(13.8%)	(△1,361)	(△7.5%)
売上原価	38,613	34.3%	38,810	32.0%	+196	+0.5%
販売費及び一般管理費	25,741	22.8%	27,562	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%

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.
2

スライド 2 ページをご覧ください。

2024 年度第 3 四半期の業績の概要ですが、連結売上収益 1,213 億 2 千万円、営業利益 327 億 5 千 2 百万円、税引前四半期利益 334 億 3 千 8 百万円、親会社の所有者に帰属する四半期利益は 285 億 5 千 2 百万円となりました。

医薬品売上収益の内訳



スライド 3 ページをご覧ください。

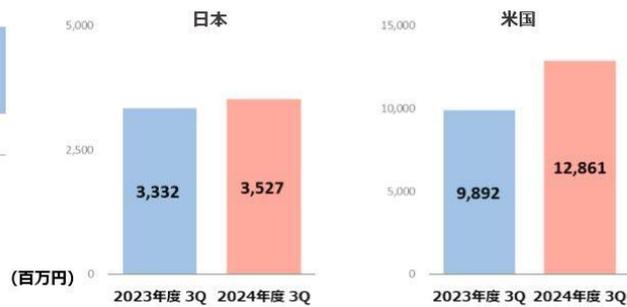
医薬品事業ですが、薬価改定や後発品の影響があったものの、「ウプトラビ」や同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入、「ビルテプソ」、等が伸長しました。

加えて5月に発売した「ビキセオス」等が寄与し、医薬品事業の連結売上収益は、1,045 億 6 千万円と、対前年同期比 10.5%の増収となりました。

ビルテプソの売上

(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%	<ul style="list-style-type: none"> ✓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スリ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	9,892	12,861	+2,969	+30.0%	<ul style="list-style-type: none"> ✓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



スライド4ページをご覧ください。

こちらでは、日米で販売している「ビルテプソ」の売上をお示ししております。

国内では35億2千7百万円、米国では128億6千1百万円と、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 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%)

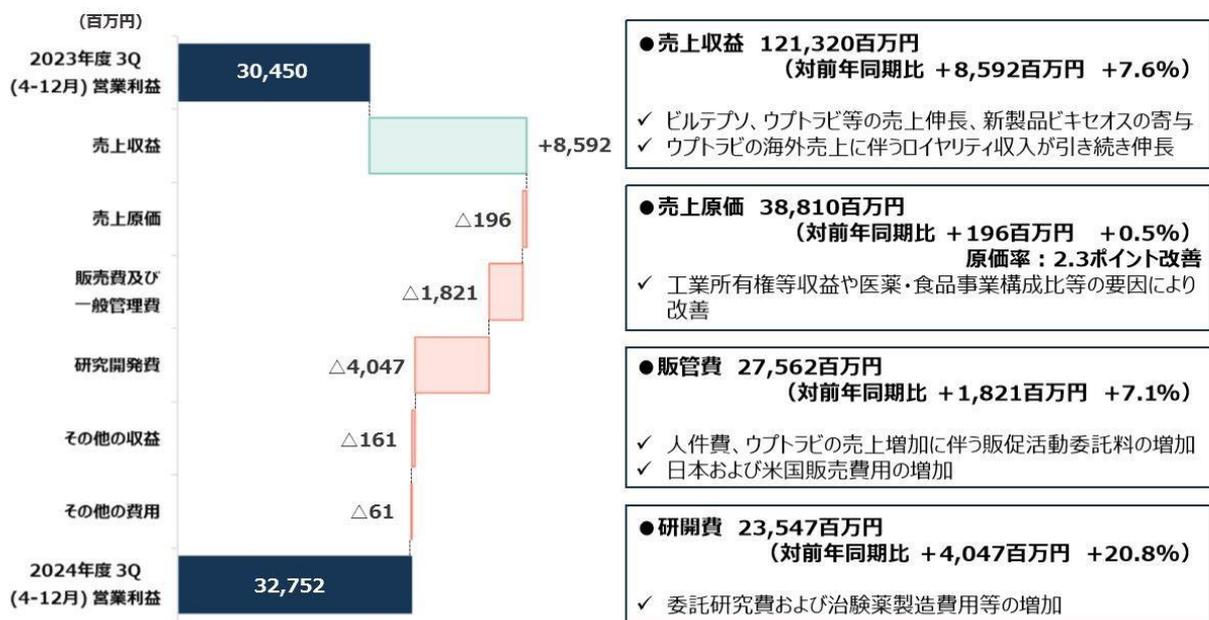
- ✓スポーツ選手を中心に若年層、シニア層の新たな需要増
- ✓エイジングケア分野もEC販売施策により伸長

●健康食品素材 748百万円
(対前年同期比 △208百万円 △21.8%)

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、連結売上収益は、167億5千9百万円と、対前年同期比7.5%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2.3ポイント改善し、32.0%となりました。

販売費および一般管理費は、人件費や「ウプトラビ」の販促活動委託料、米国子会社 NS Pharma の販売費用などの増加により、275億6千2百万円と、対前年同期比7.1%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費の増加などにより、235億4千7百万円と、対前年同期比20.8%の増加となりました。

結果として、営業利益は327億5千2百万円と、対前年同期比7.6%の増益となりました。

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率	為替 (円、対USD)		
	実績	売上比	予想	売上比			2023年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 3Q (4-12月) 実績	2024年度 4Q 予想
売上収益	148,255	100.0%	160,000	100.0%	+11,745	+7.9%	143.3	152.6	150.0
（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%			

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。

スライド7ページをご覧ください。

続きまして、2024年度の業績予想について説明させていただきます。

こちらは、11月に公表した業績予想から上方修正しております。

連結売上収益は1,600億円を見込んでおります。

営業費用については、売上原価率は32.1%と、前期と比べ、1.8ポイントの改善を見込んでおります。

販売費および一般管理費は、387億円、研究開発費は、343億円を見込んでおります。

その結果として、営業利益360億円、税引前利益366億円、親会社の所有者に帰属する当期利益315億円を見込んでおります。

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%	●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 ✓ ピキセオス等の新製品群の伸長
(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 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
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%	●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
その他の収益	900	1,000	+100	+11.1%	
その他の費用	2,400	700	△1,700	△70.8%	●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
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%	

*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。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

8

スライド 8 ページをご覧ください。

こちらでは修正した業績予想の差異をお示ししております。

売上収益は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影響など強含みで推移し、前回予想と比べ 30 億円の増収を見込んでいます。

研究開発費についてはビルテプソの治験薬製造費用等が増加し前回予想と比べ 13 億円の増加、その他の費用として為替の前提を 1 ドル 140 円から 150 円に変更したことによる為替差損の織り込み額が減少することで前回予想と比べ 17 億円の減少を見込んでいることなどから、営業利益は 30 億円の増益を見込んでいます。

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
P III 試験	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルゼン)	ビルテブソ	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 (フェンフルラン塩酸塩)	フィンテブラ	レノックス・ガストー症候群 (適応追加)	2024年3月
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 (ビルトプルチニブ)	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難治性のマンデル細胞リンパ腫	2024年8月
発売	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11月
発売 (適応追加)、承認	NS-304 (セレキシバグ)	ウプトラビ	小児肺動脈性肺高血圧症	2024年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)
P II 試験開始	NS-089/NCNP-02 (プロギシルゼン)	—	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	—

続きまして、研究開発品目の進捗状況について説明させていただきます。

2024 年度第 2 四半期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。

スライド 10 ページをご覧ください。

「NS-065/NCNP-01」につきましては、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 に提出し、303 試験のプロトコルは FDA と継続協議中です。

肺動脈性肺高血圧症治療剤「ユバンシ配合錠」につきましては、2024 年 11 月に販売を開始しました。

「ウプトラビ」につきましては、2024 年 12 月に小児肺動脈性肺高血圧症の用法及び用量を追加する製造販売承認事項一部変更承認、ならびに「ウプトラビ錠小児用」の製造販売承認を取得しました。

「CAP-1002」につきましては、2024 年 12 月にデュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症を期待適応症としてカプリコール社が米国での段階的承認申請を完了しました。

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 (ビルトフルチニブ)	ジャイバーカ	マンデル細胞リンパ腫 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 (clemidosgene lanparovvec)	—	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)	ビルテブゾ	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 (フロキシルセン)	—	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

スライド 11 ページをご覧ください。

ムコ多糖症治療剤「RGX-121/111」につきましては、2025年1月にリジェネクスバイオ社と米国における独占的販売権と日本を含むアジアにおける独占的開発販売権に関するライセンス契約を締結しました。

NLRC4 異常症および XIAP(ザイアップ)欠損症を期待適応症として欧米で開発を進めている「タデキニグ アルファ」につきましては2025年1月に米国における独占的な商業化に関する権利を取得することができるオプション契約を締結しました。

「NS-089/NCNP-02」につきましては、2024年12月に先駆的医薬品指定および希少疾病用医薬品指定を受け、また、2025年1月には医師主導治験結果の論文が学術誌の「Cell Reports Medicine」に掲載されました。

「NS-051/NCNP-04」につきましては、2025年1月に米国における希少小児疾患指定を受けました。

サレプタ社との訴訟について

NEWS RELEASE

NEWS RELEASE



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, Inc.、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「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1億1千5百万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衛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ヌスキップング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

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）治療薬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。判決言渡し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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 12

最後に、サレプタ社との訴訟について説明させていただきます。

米国での訴訟は2024年12月16日から20日まで行われた公判の結果、サレプタ社が西オーストラリア大学から取得した特許は有効であり、当社による「ビルテプソ」の販売行為に基づく損害額が1億1千5百万ドルであるとの陪審評決が下されました。

日本における訴訟については、判決の言い渡しが予定されていた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の陳述をしたため、実質的に当社の勝訴と同一の結果が得られ終了いたしました。

日本の訴訟の結果を受けて、米国の訴訟について陪審評決をくつがえす可能性が高まったと考えております。

そのため、米国訴訟についてさらに自信を持って今後の対応を進めてまいります。

以上、2024年度第3四半期の業績と研究開発の進捗状況などについて説明を終わらせていただきます。

2024 年度第 3 四半期決算説明会 Q&A (要約)

2025 年 2 月 7 日開催

No.	質問内容	回答
1	今回の業績予想の修正について、売上収益と営業利益は 30 億円の上方修正だが、30 億円のうち為替想定の変更による変動額は。	30 億円の修正のうちビルテプソの米国売上で 4 億 5 千万円、工業所有権等収益を 15 億 5 千万円上方修正しているため、これらを合わせた約 20 億円分が為替想定変更による影響だと考えてもらえばよい。
2	その他の費用の予想修正分は、ほぼ全てが為替想定の変更によるものか。	その他の費用の修正については、大半が為替差損益の変更によるものである。
3	研開費は今回の予想修正で 13 億円増額されている。昨年は 4Q だけで 120 億円研開費を使っていたが、この 4Q も 110-120 億円使うことになるのか。また、今年度の研開費予想は 343 億円であるが、来年度はそれより 30 億円程度増えるイメージか。	4Q に委託研究費や核酸製造費用が多く発生するため、そういったものを含めて通期予想を修正し、それを計画通り使う予定になっている。来年度の研開費は本決算で開示するが、増えていく傾向である。
4	今年度の通期予想では販管費が 387 億円だが、来年度に CAP-1002 などが上市していくと、販管費はどれくらい増えていくのか。来年度のガイダンスを見るべきか。	具体的な数字は現時点では控えさせていただくが、販管費が増えていくことは間違いない。本決算のタイミングで来年度のガイダンスを発表する。
5	今期の複数の導入品についてのアップフロント（契約締結時一時金）は今回の修正には関係ないのか。	資産計上しているため、基本的に影響はない。
6	ビルテプソの国内状況について、中外製薬が遺伝子治療薬を承認申請しており、発売が予想される。日本ではあまりビルテプソの売上は伸びていないが、まだ新規の患者は増えているのか。来年度以降のビルテプソの国内売上は。	日本については新規症例は数例増えているがその一方で中止例もあり、トータルで見ると横ばいになる。売上の伸びも鈍化しており、来年度以降は横ばいになると考えている。
7	ビルテプソの国内患者数は、現状は薬価算定時の中医協資料のピーク時患者数の 3 分の 2 以上に投与されているものの想定ピーク時投与患者数には届いていない。ピーク時患者数よりも少ない水準で投与患者数が横ばいになってきているのは、当初想定されていたこととどのような点に乖離が生じたと考えるか。	当初ピーク時の投与患者数は 128 名と想定していたが、現状は 3 分の 2 以上の投与患者数である。想定との大きな違いとしては、合併症のある患者さんには投与できないことなどである。これまでの累積投与患者数はピーク時想定患者数に近いところに来ているが、中断例もあり 3 分の 2 以上となっている。

8	ピーク時 128 名と想定された際にも一定の中断例を見込んでいたと思うが、現状として中断する患者さんが想定よりも多いということか。	そうである。
9	ビルテプソの国内患者数が当初想定 of ピーク時患者数に到達していない理由は、他のエクソンスキッピング薬とも共通するのかな。	他のエクソンスキッピング薬にも共通する考え方であると思う。
10	ビルテプソのドルベースの売上が 2Q と比べて 3Q は若干減少して、4Q でまた増える計画になっていると思われる。遺伝子治療薬の影響が出ているように推測しているが、どうなのか。	患者の個人情報であるため詳細は入手できていないが、2~3 例程度、ビルテプソから遺伝子治療に切り替わった症例があると推測している。
11	前年度は保険切り替えのために 4Q の売上げが良くなかったが、今期はそのようなことはないと考えているか。	そういったことも織り込んだ通期の計画になっている。
12	ビルテプソの来年度以降の米国売上および患者数はフラットになっていくのか。	具体的な数字は開示していないが、ほぼフラットになると想定している。
13	ビルテプソの米国での迅速承認継続に関する協議の状況についてお聞きしたい。元々は昨年の 12 月末までにデータセットとプロトコルを提出し、ミーティングが申請から 75 日以内に開催されることから、Type C Meeting が 3 月頃開催になるということだった。プロトコル提出が遅れた背景は何か。	完全なプロトコルを提出するにあたり、当初は 12 月中に提出予定だったが、統計解析の手法について専門家の意見を聞いたところ、少し複雑な統計解析手法を用いることがこの試験では一番良いのではないかというご意見をいただき、臨床の先生方を含め検討を続けている。治験の総括報告書は 12 月中に提出しているため FDA は詳細の情報をレビューしていると考えている。プロトコルの作成状況についても FDA とコミュニケーションを取りながら進めている。そのため、プロトコルの提出遅れによって FDA とのミーティングの時期が大幅に遅れるとは考えていない。
14	プロトコルの提出が完了するタイミングと FDA とのミーティングの申請タイミングは。	当社の資料提出から何日後にミーティングを開催できるかについては厳密に決定していないが、10 月に予定していた Type C Meeting がキャンセルされた後も、FDA とは継続的にコミュニケーションをとっているため、大幅にミーティングの日程が遅れることはないと考えている。

15	<p>301 試験の総括報告書を提出後 2~3 か月 FDA の回答を待つ期間があるという認識だが、303 試験のプロトコルの作成は並行しているのか。301 試験・303 試験についての FDA との協議状況について、整理して教えてほしい。</p>	<p>昨年 10 月に予定していた FDA との会議に向け、当社からは、以下 2 点を提出した。</p> <p>① ビルテプソの販売を継続したままで追加の P3 試験を実施することについて合意するかという質問</p> <p>② 301 試験のデータから当社が考察する主要評価項目が未達となった理由を改善した 303 試験のプロトコルの骨子</p> <p>それに対し FDA からは、以下の要求があった。</p> <p>(ア) 301 試験の医師がサインした総括報告書とデータセットを追加提出</p> <p>(イ) 303 試験の完全なプロトコルの提出</p> <p>当社が優先して提出しなければならないのは総括報告書とデータセットであり、それらは 12 月に提出した。すでに当社から 303 試験の骨子は提出しているので、それも踏まえた 301 試験のデータの詳細なレビューが進められていると認識している。フルプロトコルは今月中から来月初めには提出できる見込みだが、当社が 303 試験の完全なプロトコルをまだ提出していないために FDA のレビューが進んでいない、ということはないと考える。</p>
16	<p>現在の FDA との迅速承認継続についての協議状況は。</p>	<p>ビルテプソを市場に残すことについても FDA と継続協議中である。</p> <p>元々 10 月の Type C Meeting で協議する内容は 2 点あった。</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 販売を継続しながらの追加 P3 試験の実施 2. 追加 P3 試験のデザインに対する FDA の合意 <p>次のミーティングで 2. のプロトコルにおいて完全に合意できなくとも、1. の販売継続の可否については結論が出る可能性もある。</p>
17	<p>303 試験のプロトコルとビルテプソの販売継続については 3 月頃には目途が立つという理解でよいか。</p>	<p>FDA とのミーティングのタイミングは、FDA が 301 試験のデータおよび 303 試験のプロトコルをレビューした後になる。FDA がレビューを完了する時期は、現時点では来年度の始めあたりだと考えている。</p>
18	<p>ビルテプソの米国での販売継続について、米国当局の体制の変更によって風向きが変わってきているのか。</p>	<p>10 月から FDA とはコミュニケーションを続けているが、今回の米国新政権の意向で FDA の態度が変わったということはない。</p>

19	<p>特許訴訟について、国内での裁判の結論が米国の判決に応用できるとのことだったが、米国では第一審で負けていることもあり外部からの視点では不安要素でもある。詳細をコメントしていただきたい。</p>	<p>日本の裁判と米国の裁判は異なるが、論点はほぼ同じである。サレプタ社の特許は非常に広範囲な特許であるため、サポート要件や実施可能要件が満たされていないという主張を日本では当社が行っていた。1月30日には当社の主張に沿った判決が出ると想定していたところ、サレプタ社が請求を放棄し、実質的には当社の勝訴という形で裁判は終了となった。米国の裁判では表現は少し違うものの論点はほとんど同じであり、記述要件と実施可能要件が論点となっている。したがって、日本で専門家の方々に当社の主張が認められたように、フェデラルサーキットでは特許の専門家に判断していただけるので、米国でも当社の主張が認められる可能性が高いと考える。</p>
20	<p>サレプタ社が日本での請求を放棄した理由だが、サレプタ社は日本で販売しておらず実質的な損害があるのかという点において、日米の訴訟の状況が異なると思う。この点が背景で請求が放棄されたということはないか。</p>	<p>2023年6月に日本においてサレプタ社の53スキッピング薬が発売されていない状況で日本で訴訟を起こしているため、先方の53スキッピング薬の日本での上市有無が今回の請求の放棄に直接関係しているとは考えていない。推測ではあるが、サレプタ社の特許が無効であり日本新薬による特許の侵害はないという当社の主張が認められると先方が想定し、明らかな判決が出ることを避けたと当社は考えている。</p>
21	<p>サレプタ社との訴訟は日本では実質勝訴だった。米国の陪審判決については、今年の6月にサレプタ社の特許が切れるため、サレプタ社の損害額として陪審評決が下された115.2百万ドルが御社のワーストケースの支払い額か。</p>	<p>今年6月にサレプタ社のUWA特許は満了するが、損害賠償の115.2百万ドルは、昨年12月の公判直前までの売上実績に基づく損害賠償額である。当社が完全に敗訴したワーストケースの場合、それに加えて特許満了までの半年分程度のビルテプソ売上に基づく損害賠償が加算される可能性がある。</p>
22	<p>昨年11月以降ライセンス契約が増えてきた。RGX-121やTadakinig alfaは、順調にいけば来年度後半ぐらいに承認される可能性があると思われる。今のNSP(米国子会社NS Pharma)の125名体制で対応するのは難しいと思うが、どのように考えているのか。</p>	<p>NSPで新製品群発売に向け準備を進めている。ビルテプソ1品目のみの販売体制では人員が足りないため新規での雇用計画もあるが、各品目で共通して対応できる部分も考慮して採用活動を進めている。</p>
23	<p>新しい品目は小児疾患という点ではビルテプソと共通していても、DMDとは疾患領域が違うと思うが、どのぐらい新規雇用をするのか。</p>	<p>現時点では具体的にお答えできないが、今後、適宜説明していく予定である。</p>

24	NSP 全体の人員が増えるとして、販管費の観点でも教えてほしい。来年度の CAP-1002 上市準備費用や実際の販売費用もかかる。来年度に CAP-1002 やその他の新製品を販売していくことで、販管費がどう変化していくのか教えてほしい。	CAP-1002 の販売準備費用は 4Q にも織り込んでいる。今後準備費用や実際の販売に向けた費用は増えていく。
25	CAP-1002 については、御社が日米の販売権を取得しているので、今後は御社が主導権をもって情報開示をすることができるのか。カプリコール社はバイオテックであり派手なプレゼンテーションを行うが、御社はより実践的な販売に沿った情報発信・データの説明をしていくという理解で良いか。	当社からも積極的に情報発信したいと考えており、R&D 説明会でも詳しく説明する予定である。
26	今後は CAP-1002、RGX-121 が重要になると考えられる。RGX-121 はバイオマーカーのデータしかない薬だと思うが、競争が激しい中でこの薬が選ばれていくと考える背景は何か。ライセンス契約のロイヤリティについて REGENXBIO 社は「Meaningful double-digit」と開示していた。CAP-1002 の場合は製品供給に係る費用も込みで売上の 30-50%の支払いとカプリコール社が開示しているが、RGX-121 についても近い経済条件か？	RGX-121 について、この領域で酵素補充療法は米国で 1 剤、日本では 3 剤上市されている。酵素補充療法が週 1 回の静注か月 1 回の脳室内投与である一方、RGX-121 は 1 回限りの投与で効果が期待できる。また酵素補充療法は中枢症状への効果が弱いが、遺伝子治療は脳内に投与するため中枢症状への効果が期待できる。臨床試験では酵素補充療法への上乗せ投与で検討されており、それらの症例の内 4 分の 3 の患者さんが酵素補充療法から離脱できているというデータがある。こういった点が他剤との差別化ポイントであり、ムコ多糖症 II 型の領域でも十分売上が期待できると考えている。RGX-121 のロイヤリティについては二桁台という以上の具体的な数字の開示は控えたい。
27	NS-051 が希少小児疾患指定を受けたが、臨床試験は今期あるいは来年度上期には開始しそうか。	非臨床試験で確認された毒性所見についての FDA との協議がまだ続いており、今年度の試験開始は難しい。FDA との協議継続によって一つずつ問題解決に向かってはいるが、現時点で具体的に来年度のいつ頃に開始するかをお答えすることは難しい。

28	<p>今後の事業投資の方針について教えてほしい。エクソンスキッピング薬は海外で後続の企業の開発も進んできており、御社には長期的にはアーリーステージの導入を含めた新しいプラットフォーム技術が必要になると考える。直近の導入品を見るとレイトステージの、ウプトラビの特許切れの後に売上収益に寄与するものが多い。今後はまだもう少しトップラインに寄与する導入が続くのか、アーリーステージも力を入れて探しているのか。</p>	<p>アーリーステージからレイトステージまで広くウォッチしており、どこかのステージに絞っているわけではない。</p>
29	<p>エクソンスキッピング薬の競合状況が複雑になってきている傾向はあるか。</p>	<p>主にエクソンスキッピング薬については、最近では米国ベンチャーなど核酸の送達方法を工夫し投与間隔を伸ばした開発品がいくつか出てきていると認識している。当社も送達方法の工夫はこれまでも検討してきており、今後も他社の技術動向を確認しながら研究を続けていきたい。</p>
30	<p>2月18日開催予定のR&D説明会のテーマは何になるのか。Tadekinig alfaについてはデータがないため何も分からない状況であるが、2/18のR&D説明会では説明してもらえるのか。</p> <p>御社は希少疾患を含めて難しい領域に取り組んでいるので、疾病のメカニズム等を整理してもらえれば、御社のパイプラインのフォローがしやすくなると思う。</p>	<p>Tadekinig alfaについてはオプション契約の状況であるため、2/18のR&D説明会には含まれていないが、今年度導入したRGX-121/111やATSN-101については疾患や薬剤の特徴を詳しく説明する予定である。加えて、細胞治療薬であるCAP-1002についても、薬剤の特徴やDMD心筋症への申請に変わっているので、その点についても説明する内容で準備を進めている。</p>