

2024年度 決算説明会

2025年5月8日
日本新薬株式会社

01

2024年度の業績と2025年度の業績見通し

02

第七次中期経営計画（2024年度-2028年度）アップデート

03

研究開発の進捗状況

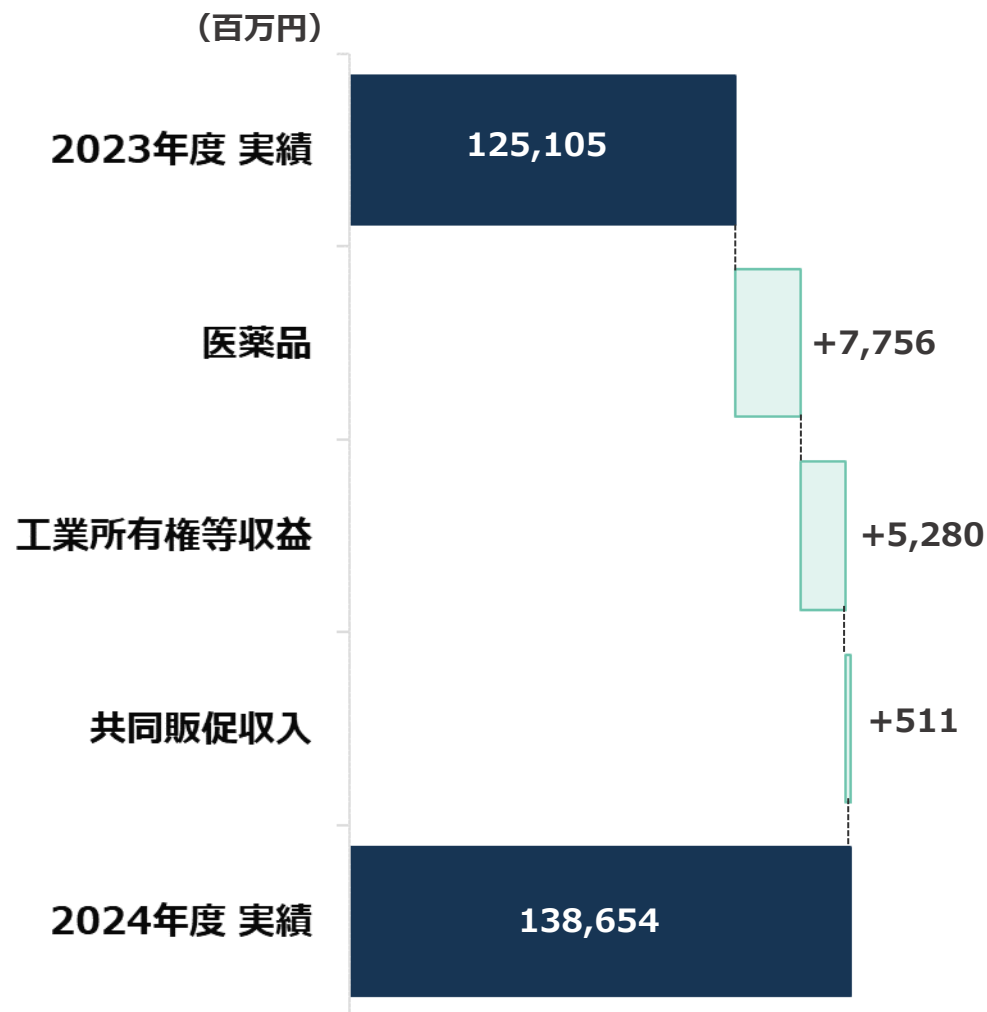
2024年度の業績と 2025年度の業績見通し

代表取締役社長 中井 亨

2024年度 概要

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	148,255	100.0%	160,232	100.0%	+11,976	+8.1%
(医薬品)	(125,105)	(84.4%)	(138,654)	(86.5%)	(+13,549)	(+10.8%)
(機能食品)	(23,150)	(15.6%)	(21,577)	(13.5%)	(-1,572)	(-6.8%)
売上原価	50,234	33.9%	51,116	31.9%	+882	+1.8%
販売費及び一般管理費	34,959	23.6%	38,011	23.7%	+3,052	+8.7%
研究開発費	31,676	21.4%	34,341	21.4%	+2,664	+8.4%
その他の収益	3,163	2.1%	874	0.5%	-2,288	-72.4%
(為替差益)	(2,486)	(1.7%)	-	-	(-2,486)	-
その他の費用	1,252	0.7%	2,186	1.4%	+933	+74.5%
(為替差損)	-	-	(811)	(0.5%)	+811	-
営業利益	33,295	22.5%	35,450	22.1%	+2,154	+6.5%
金融収益	650	0.4%	830	0.5%	+180	+27.7%
金融費用	329	0.2%	145	0.0%	-184	-55.9%
税引前利益	33,616	22.7%	36,135	22.6%	+2,519	+7.5%
法人所得税費用等	7,765	5.2%	3,577	2.3%	-4,188	-53.9%
親会社の所有者に帰属する当期利益	25,851	17.4%	32,558	20.3%	+6,707	+25.9%

医薬品売上収益の内訳



● **医薬品 83,898百万円**
(対前期比 +7,756百万円 +10.2%)

- ✓ 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、フィンテプラ等の新製品群の売上が寄与

● **工業所有権等収益 45,585百万円**
(対前期比 +5,280百万円 +13.1%)

- ✓ 主にウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入伸長

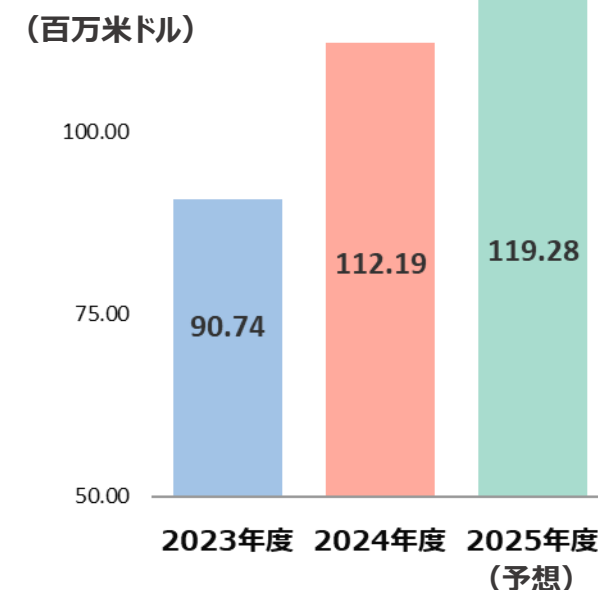
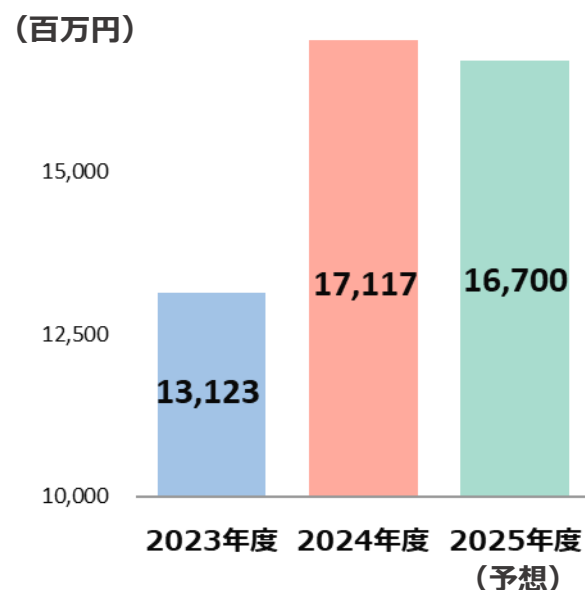
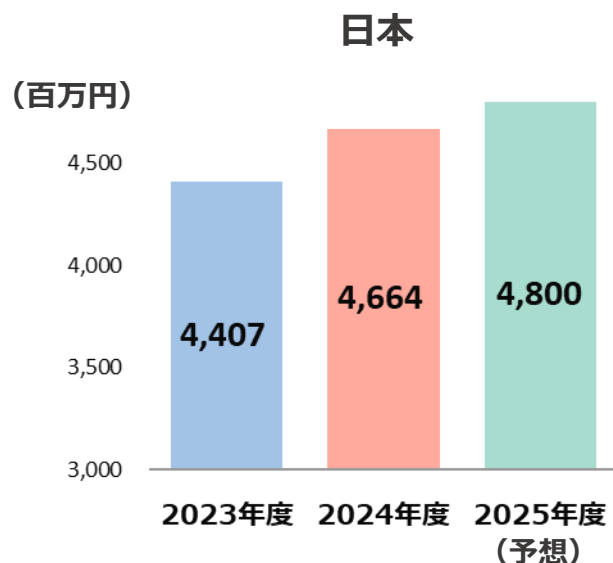
● **共同販促収入 9,170百万円**
(対前期比 +511百万円 +5.9%)

- ✓ オプスミットの伸長
- ✓ 2024年11月上市の新製品ユバンシの寄与

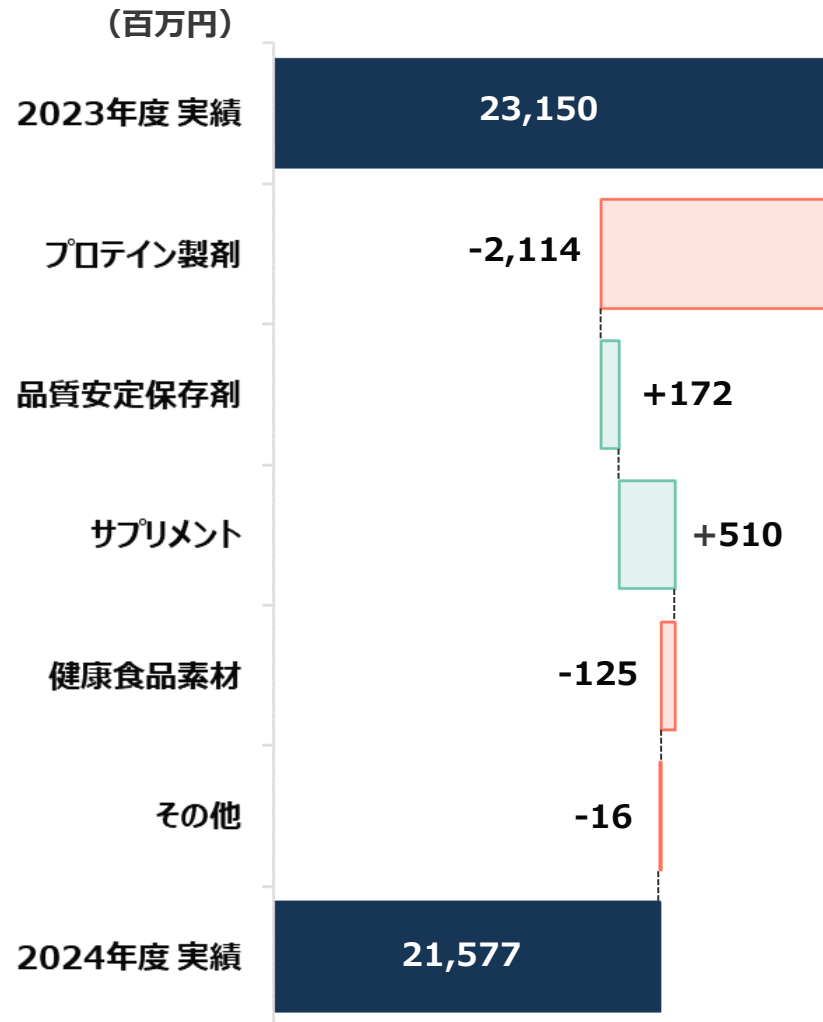
ビルテプソの売上

(百万円)	2023年度実績	2024年度実績	差異	増減率	2025年度予想	2024年度実績についてのコメント
日本	4,407	4,664	+257	+5.8%	4,800	<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4分の3以上 ✓ PⅢ試験結果発表後も全例投与継続中
米国 (百万米ドル)	13,123 (90.74)	17,117 (112.19)	+3,994 (+ 21.44)	+30.4% (+23.6%)	16,700 (119.28)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ PⅢ試験結果発表後も新規患者数は伸長 ✓ 複数のDMD治療薬があり保険適応の更新審査が厳格化。今後は、全体の投与患者数の伸びが鈍化する予想
計	17,530	21,782	+4,251	+24.3%	21,500	

為替レート	2023年度実績	2024年度実績	2025年度予想
円 (対米ドル)	144.6	152.6	140.0



機能食品売上収益の内訳



●**プロテイン製剤** 13,485百万円
(対前期比 -2,114百万円 -13.6%)

- ✓ 加工食品業界向けプロテイン製剤の販売価格ダウン
- ✓ 顧客が安価な原料へ流れ、乳たん白類の使用量が減少

●**品質安定保存剤** 3,278百万円
(対前期比 +172百万円 +5.6%)

- ✓ 観光や外食産業の回復が進む

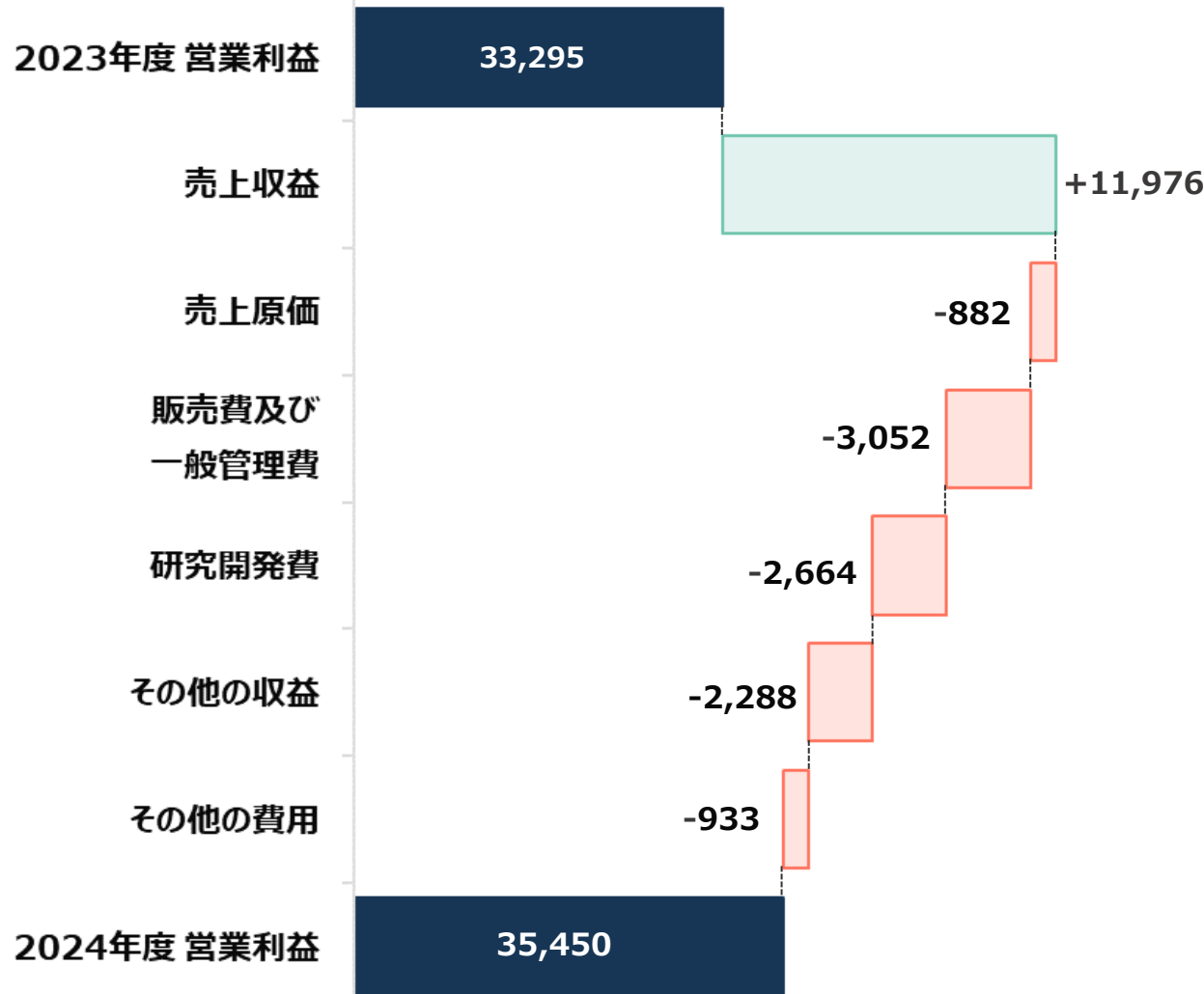
●**サプリメント** 2,415百万円
(対前期比 +510百万円 +26.8%)

- ✓ 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** 1,122百万円
(対前期比 -125百万円 -10.1%)

営業利益

(百万円)



- **売上収益 160,232百万円**
(対前期比 +11,976百万円 +8.1%)
- ✓ ビルテプロ、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 51,116百万円**
(対前期比 +882百万円 +1.8%)
原価率 31.9% : 2.0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

- **販管費及び一般管理費 38,011百万円**
(対前期比 +3,052百万円 +8.7%)
- ✓ 米国の新製品発売準備に伴う販売費用増加
- ✓ ビキセオス、ジャイパーカ発売による国内営業部門経費増加
- ✓ ウプトラビの国内売上増加に伴う販促活動委託料の増加

- **研究開発費 34,341百万円**
(対前期比 +2,664百万円 +8.4%)
- ✓ 委託研究費および治験薬製造費用の増加

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
売上収益	160,232	100.0%	173,000	100.0%	+12,768	+8.0%
（医薬品）	(138,654)	(86.5%)	(150,000)	(86.7%)	(+11,346)	(+8.2%)
（機能食品）	(21,577)	(13.5%)	(23,000)	(13.3%)	(+1,423)	(+6.6%)
売上原価	51,116	31.9%	55,200	31.9%	+4,084	+8.0%
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	47,000	27.2%	+8,989	+23.6%
研究開発費	34,341	21.4%	39,500	22.8%	+5,159	+15.0%
その他の収益	874	0.5%	600	0.3%	-274	-31.4%
その他の費用	2,186	1.4%	1,900	1.1%	-286	-13.1%
営業利益	35,450	22.1%	30,000	17.3%	-5,450	-15.4%
金融収益	830	0.5%	700	0.4%	-130	-15.7%
金融費用	145	0.0%	100	0.1%	-45	-31.2%
税引前利益	36,135	22.6%	30,600	17.7%	-5,535	-15.3%
法人所得税費用等	3,577	2.3%	6,600	3.8%	+3,023	+84.5%
親会社の所有者に帰属する当期利益	32,558	20.3%	24,000	13.9%	-8,558	-26.3%

為替（円、対米ドル）

2024年度 実績	2025年度 予想
152.6	140.0

2025年度における
費用増加理由

販管費及び一般管理費

- ✓ CAP-1002（deramiocel）およびRGX-121発売準備に伴う米国販売費用増加
- ✓ 欧州展開準備費用の増加
- ✓ ウプトラビの国内売上増加に伴う販促活動委託料の増加

研究開発費

- ✓ 核酸品目の研究開発に伴う委託研究費や製造費用の増加

2025年度予想の為替感応度は1円の円安で売上収益が約5.3億円増加、営業利益が約4.5億円増加を想定。

医薬品売上収益予想の内訳

(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
医薬品	83,898	60.5%	92,900	61.9%	+9,002	+10.7%
工業所有権等収益	45,585	32.9%	47,500	31.7%	+1,915	+4.2%
共同販促収入	9,170	6.6%	9,600	6.4%	+430	+4.7%
医薬品合計	138,654	100.0%	150,000	100.0%	+11,346	+8.2%

薬価改定やビダーザ後発品の影響はあるものの、以下の要因等により増収を見込む

1. 米国での新製品発売（2025年度後半予定）：CAP-1002（deramiocel）、RGX-121
2. 国内新製品群の貢献：ビキセオス、フィンテプラ、ウプロラビ小児製剤等
3. ロイヤリティ収入の伸長：ウプロラビの海外売上分

機能食品売上収益予想の内訳

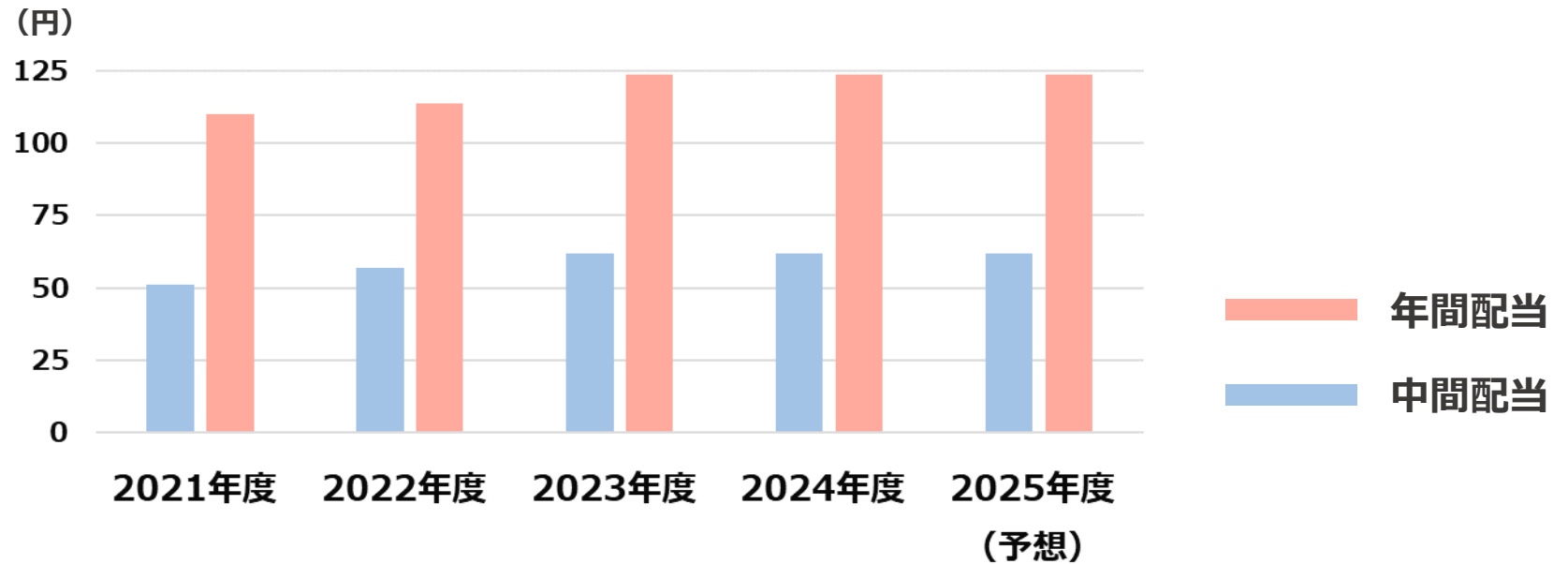
(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率
	実績	売上比	予想	売上比		
プロテイン製剤	13,485	62.5%	13,900	60.4%	+415	+3.1%
品質安定保存剤	3,278	15.2%	3,400	14.8%	+122	+3.7%
サプリメント	2,415	11.2%	3,500	15.2%	+1,085	+44.9%
健康食品素材	1,122	5.2%	1,100	4.8%	-22	-2.0%
その他	1,276	5.9%	1,100	4.8%	-176	-13.8%
機能食品合計	21,577	100.0%	23,000	100.0%	+1,423	+6.6%

新製品開発・投入および重点品目への取り組み強化により、増収を見込む

配当予想

	2024年度	2025年度 予想
普通株式1株当たり配当金	中間配当金	62 円
	年間配当金	124 円
基本的1株当たり当期利益	483.40 円	356.20 円
配当性向（連結）	25.6 %	34.8 %
DOE*	3.6 %	-

* Dividend on Equity ratio : 親会社所有者帰属持分配当率（連結）



第七次中期経営計画（2024年度-2028年度） アップデート

代表取締役社長 中井 亨

第七次中期経営計画の概要

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.19

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

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

2028年度定量目標

売上収益	2,300億円	営業利益	300億円
EPS	341円	ROE	8%以上
		ROIC	9%以上

3つの重点テーマ

I
ウプトラビに替わる
成長ドライバーの育成

II
グローバル展開
の拡大

III
継続的な
パイプラインの拡充

5つの経営基盤の強化

①
持続可能な社会
の実現に向けた
サステナビリティ
経営の推進

②
研究開発の
スピードアップ

③
社員一人ひとりが
成長し多様な
人財が活躍できる
人的資本経営の推進

④
デジタル化推進
による業務変革と
生産性の向上

⑤
サステナブルな
成長に向けた
財務戦略

3つの重点テーマ 1年間の振り返り

I. ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成

- 血液がん治療剤であるビキセオス、ジャイパーカ、肺動脈性肺高血圧症治療剤であるユバンシを上市
- ウプトラビの小児適応を取得および小児用の製剤も販売を開始（PLCM）
- MRチャンネルとデジタルチャンネルを活用したオムニチャンネルでの販売活動を拡充し、新製品の早期市場浸透を推進

II. グローバル展開の拡大

- CAP-1002（DMD心筋症）のFDAへの申請完了。2025年度中に米国上市予定
- CAP-1002、RGX-121の米国上市に向けた自販体制の拡充
- 欧州での販売体制構築に向け、自社販売、アライアンス、M&A等を検討

III. 継続的なパイプラインの拡充

- 自社創薬、導入、PLCMの3本柱を軸に、継続的にパイプラインを拡充
- 英国MiNA社との研究提携契約を通じたオープンイノベーションによる新規創薬モダリティの活用
- ATSN-101、RGX-121/111の導入。今後も年1品目以上の導入品獲得を目指す

新製品の上市目標

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

年平均2品目以上の新製品の発売を目指す

1.一般名→販売名に更新, 2.上市の前倒し, 3.上市の繰り下げ, 4.品目の新規追加

第七次中計期間						次期中計期間	
	2024年度 (実績)	2025年度	2026年度	2027年度	2028年度	2029年度	2030年度
国内	NS-87 (ビキセオス) : 高リスクAML	NS-401 (タグラクソフスプ) : BPDCN ²	GA101 (ガザイバ) : 小児特発性ネフローゼ症候群	ZX008 (フィンテプラ) : CDKL5遺伝子欠損症 ³	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) : DMD ³		NS-050/NCNP-03 : DMD ³
	LY3527727 (ジャイパーカ) : MCL ¹			GA101 (ガザイバ) : ループス腎炎 ³			NS-304 (セレキシパグ) : ASO ⁴
	NS-304 (ウプトラビ) : 小児PAH			GA101 (ガザイバ) : 腎症を伴わないSLE			
海外		CAP-1002 (deramiocel) (米) : DMD心筋症 ²		NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) (米) : DMD		NS-050/NCNP-03 (米) : DMD ³	
		RGX-121 (clemidsogene lanparvovec) (米) : ムコ多糖症II型 ⁴					

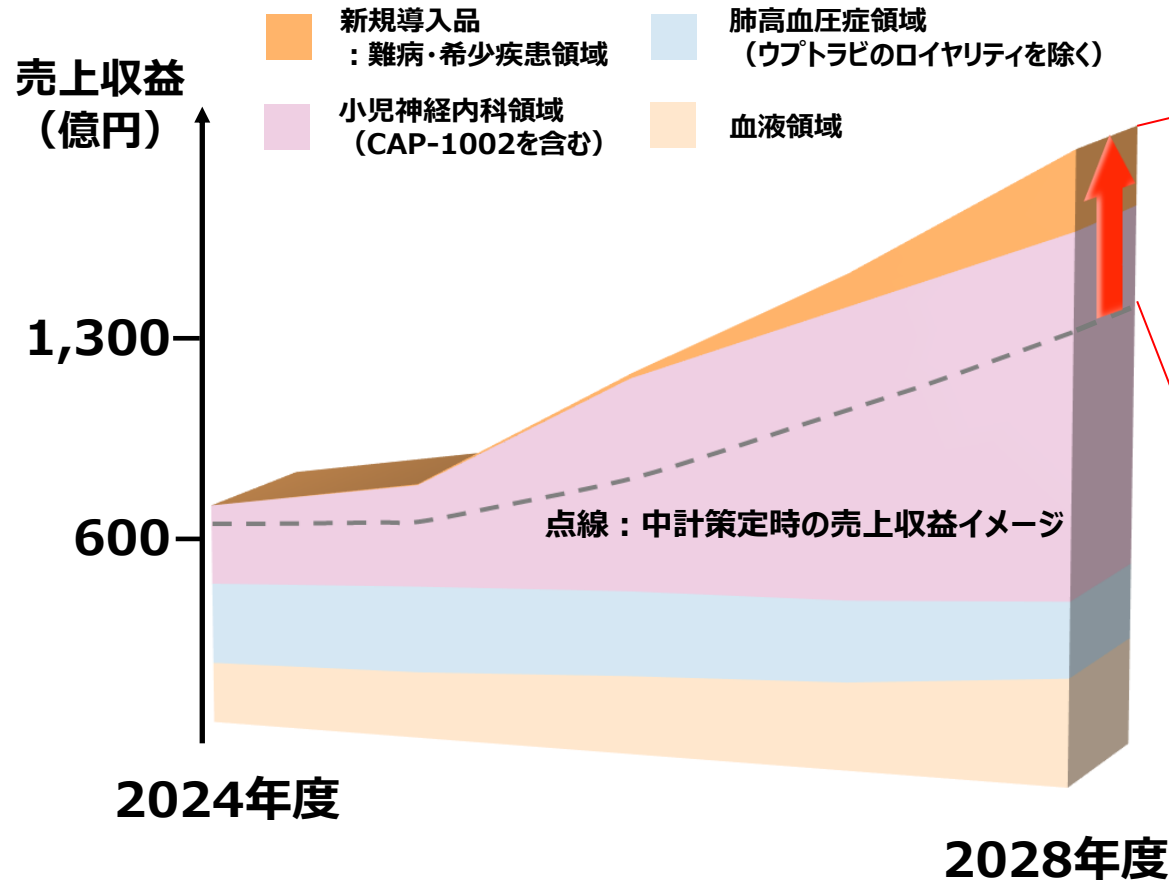
第七次中計期間内の発売を目指す
ATSN-101 (米) : LCA1⁴、RGX-111 (米) : ムコ多糖症I型⁴

注 : NS-051/NCNP-04 (日本、米国) およびNS-065/NCNP-01 (欧州、中国) は、いずれも当局との協議継続中であり、上市時期未定 (開発継続)

AML: 急性骨髄性白血病、MCL: マントル細胞リンパ腫、PAH: 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、ASO : 閉塞性動脈硬化症、LCA1 : GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障

2028年度の注力領域におけるグローバル市場での売上収益については、 2024年5月発表の第七次中計の計画値 1,300億円を上回り拡大する見込み

第七次中計期間中の売上収益拡大イメージ



主な増収要因

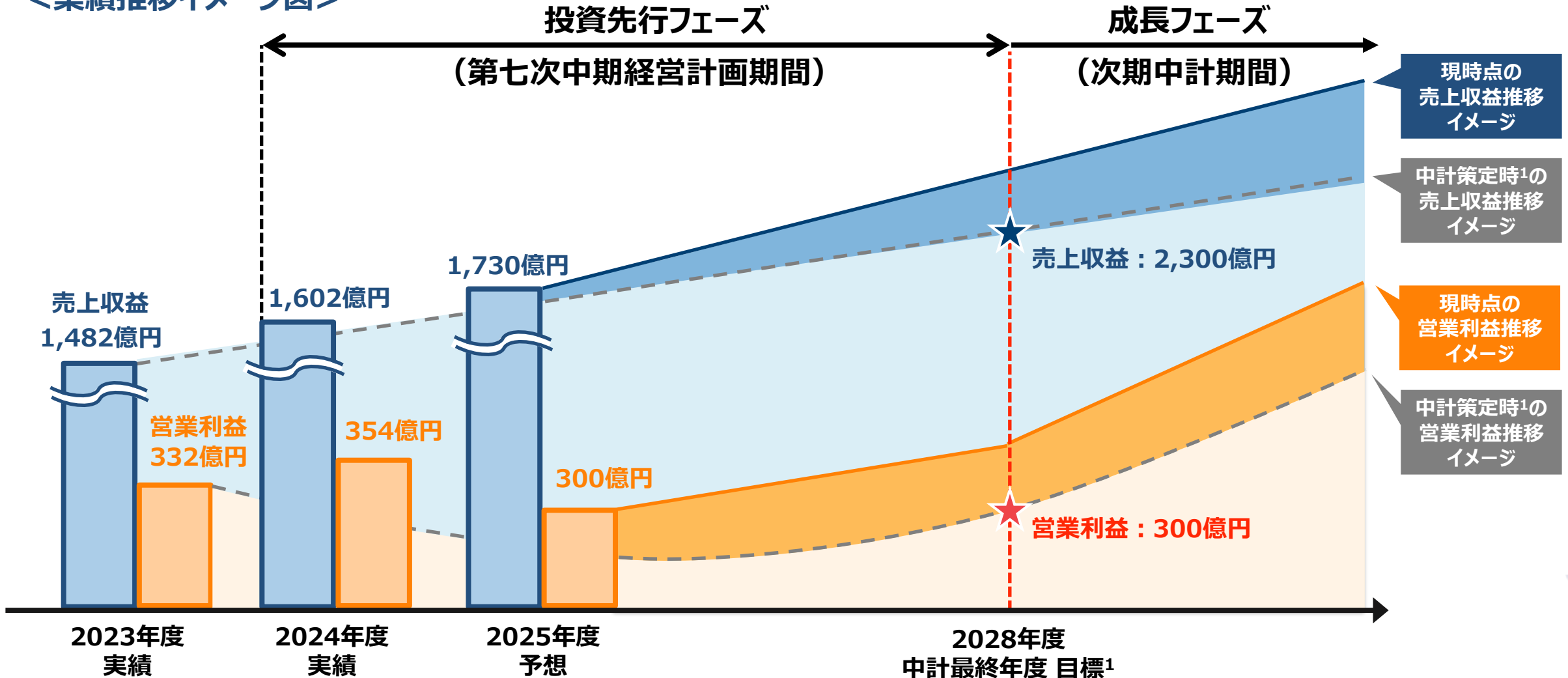
- 難病・希少疾患領域の新規導入品による増収（ATSN-101、RGX-121/111）
- 細胞治療薬 CAP-1002の上市予定前倒し、および期待適応症がDMD心筋症となったことに伴う対象患者の拡大
- 難治てんかん治療剤 フィンテプラ[®]の売上伸長
- ウプトラビ、ユバンシ等、肺高血圧症治療剤の市場拡大
- ビキセオス、ジャイパーカ、NS-401等、血液がん治療剤の売上伸長

※2025年度より個別の売上を開示

パテントクリフを乗り越え成長する基盤の確立

CAP-1002の上市前倒しおよび新製品の早期立ち上がりにより、
営業利益は2025年度以降増加する見込み

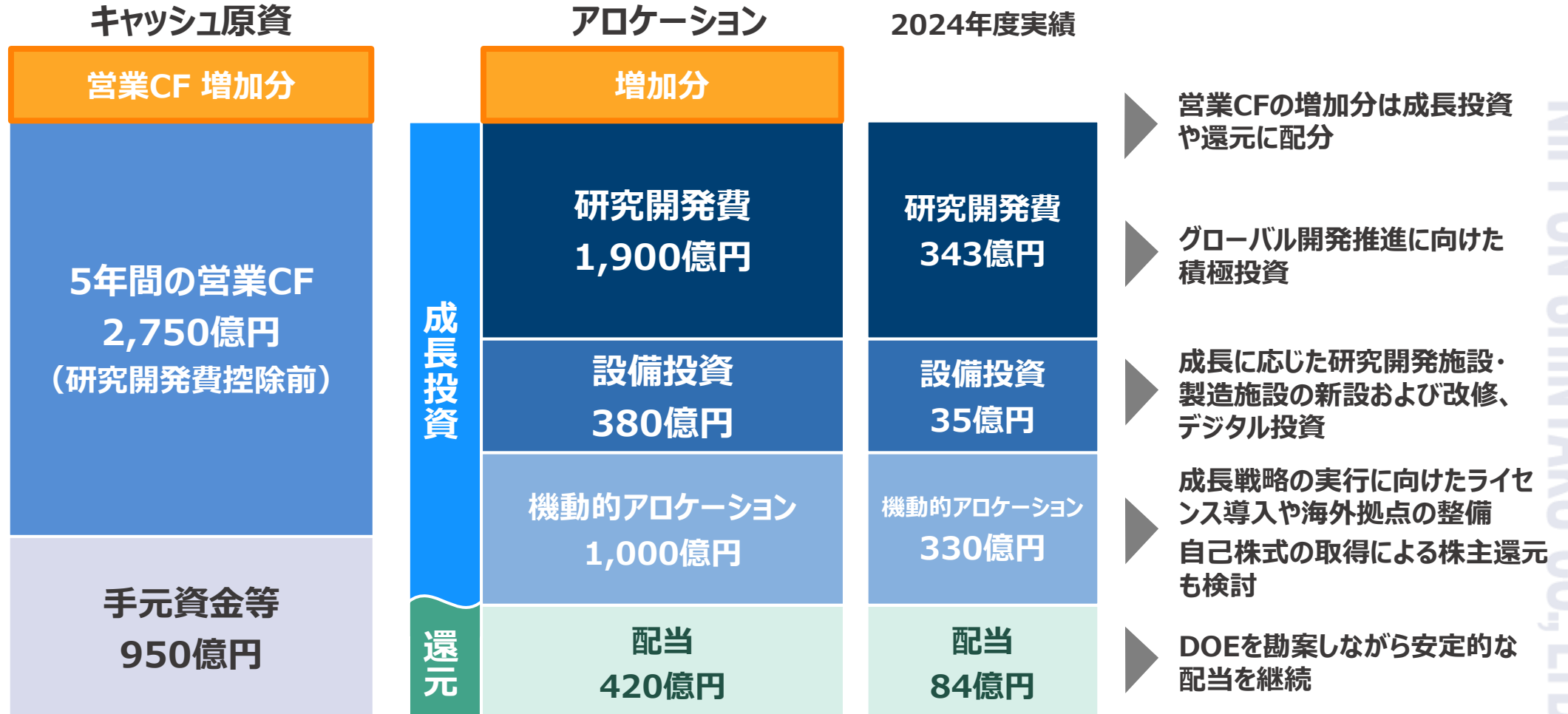
<業績推移イメージ図>



1. 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~」

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

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



Capricor Therapeutics Announces Completion of Mid-Cycle Review Meeting with FDA on Deramiocel for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy Cardiomyopathy

-Company remains on track for PDUFA target action date of August 31, 2025-

-Advisory committee meeting to be held in advance of target action date-

SAN DIEGO, May 05, 2025 (GLOBE NEWSWIRE) -- [Capricor Therapeutics](#) (NASDAQ: CAPR), a biotechnology company developing transformative cell and exosome-based therapeutics for the treatment of rare diseases, today announced the completion of a mid-cycle review meeting with the U.S. Food and Drug Administration (FDA) for the Company's Biologics License Application (BLA) seeking full approval for deramiocel, an investigational cell therapy, as a treatment for patients diagnosed with Duchenne muscular dystrophy (DMD) cardiomyopathy. During the meeting, FDA stated that no significant deficiencies have been identified by the Review Committee and that the package is on track for a Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) action date of August 31, 2025. The FDA has also confirmed its intent to hold an advisory committee meeting, although an official date has not yet been set.

"The successful completion of our mid-cycle review meeting along with the upcoming advisory committee meeting represents major milestones on the path towards approval of deramiocel," said Linda Marbán, Ph.D., Chief Executive Officer of Capricor. "Deramiocel is a first-in-class cellular therapy with the potential to halt or slow the progression of DMD-cardiomyopathy, and we are pleased to have the opportunity to present the efficacy and safety data to the advisory committee. We have been actively preparing for an advisory committee meeting, and we look forward to providing the physician and patient perspectives to highlight the weight of evidence supporting the transformative potential of deramiocel in treating DMD-cardiomyopathy."

The BLA submission is supported by Capricor's cardiac data from its Phase 2 HOPE-2 and HOPE-2 Open Label Extension (OLE) trials compared to patient level data from an FDA-funded and published dataset on the natural history of DMD-cardiomyopathy and potential biomarkers of disease progression. Efficacy from the ongoing HOPE-3 study is not part of this BLA package submission.

- ✓ FDAとのMid-Cycle Review Meeting¹が終了
- ✓ PDUFA²は、2025年8月31日で変わらない見込み
- ✓ FDAはAdvisory Committee Meeting³を開催する意向

1. 新薬承認へ向けた中間評価会議
2. FDAによる審査終了目標日
3. FDA の医薬品審査に際して開催される一般公開の諮問委員会。製薬企業とFDA が審査対象品のリスク・ベネフィットについてそれぞれプレゼンテーションを行い、各分野の専門家からなる諮問委員がパブリックオピニオンも参考に審議し、承認推奨または否認の採決を取る

出所：2025年5月5日 カプリコール社プレスリリース
[Capricor Therapeutics Announces Completion of Mid-Cycle Review Meeting with FDA on Deramiocel for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy Cardiomyopathy :: Capricor Therapeutics, Inc. \(CAPR\)](#)

研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当 高垣 和史

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（2025年2月7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試験のフィードバックおよび 303試験のプロトコルについてFDAへ照会中	2025年4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)	ジヤイパーカ	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
適応追加	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
発売	NS-304 (セレキシパグ)	ウプトラビ	ウプトラビ錠小児用0.05mg	2025年3月
BLA*を FDAが受理	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	2025年3月 (米国)
BLA完了 (FDAの受理待ち中)	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型	2025年3月 (米国)
申請中	NS-401 (タグラキソフスプ)	—	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2025年3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

* BLA (Biologic License Application) : 生物製剤承認申請

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（2025年2月7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
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)
ライセンス契約締結 (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 (米国および日本)
ライセンス契約締結 (リジェネクスバイオ社)	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	Δコ多糖症Ⅱ型	2025年1月 (米国および日本含むアジア)
	RGX-111	—	Δコ多糖症Ⅰ型	
オプション契約締結 (AB2 BIO社)	Tadekinig alfa	—	NLRC4異常症およびXIAP欠損症	2025年1月 (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
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)
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	2025年4月 (米国)

參考資料

医薬品売上収益の内訳

						(百万円)
製品名 / 開発記号	薬効	2023年度 実績	2024年度 実績	差異	増減率	2025年度 予想
ビルテプソ		17,530	21,782	+4,251	+24.3%	21,500
(内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(4,407)	(4,664)	(+257)	(+5.8%)	(4,800)
(内. 米国)		(13,123)	(17,117)	(+3,994)	(+30.4%)	(16,700)
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	12,918	14,971	+2,052	+15.9%	16,800
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病治療剤	-	5,139	+5,139	-	7,300
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	10,383	5,109	-5,274	-50.8%	3,100
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	4,695	4,821	+125	+2.7%	5,200
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	3,927	2,728	-1,199	-30.5%	2,000
シアリス	勃起不全（ED）治療剤	2,499	2,425	-73	-3.0%	2,500
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	2,221	2,364	+142	+6.4%	2,500
フィンテプラ	ドラベ症候群に伴うてんかん発作治療剤 レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作治療剤	377	2,067	+1,689	+446.9%	4,000
CAP-1002 deramiocel (米国)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤	-	-	-	-	7,300
共同販促収入		8,658	9,170	+511	+5.9%	9,600
工業所有権等収益		40,304	45,585	+5,280	+13.1%	47,500
医薬品合計		125,105	138,654	+13,549	+10.8%	150,000

業績予想における2025年度の為替レートは1USD=140円を想定。為替感応度は1円の円安で売上収益が約5.3億円増加を想定。

機能食品売上収益の内訳

(百万円)	2023年度		2024年度		差異	増減率	2025年度 予想
	実績	売上比	実績	売上比			
プロテイン製剤	15,600	67.4%	13,485	62.5%	-2,114	-13.6%	13,900
品質安定保存剤	3,105	13.4%	3,278	15.2%	+172	+5.6%	3,400
サプリメント	1,905	8.2%	2,415	11.2%	+510	+26.8%	3,500
健康食品素材	1,248	5.4%	1,122	5.2%	-125	-10.1%	1,100
その他	1,291	5.6%	1,276	5.9%	-14	-1.1%	1,100
機能食品合計	23,150	100.0%	21,577	100.0%	-1,572	-6.8%	23,000

財政状況

(百万円)	2023年度 期末実績	2024年度 期末実績	差異		2023年度 期末実績	2024年度 期末実績	差異
資産	263,404	283,637	+20,233	負債	42,870	36,297	-6,572
(流動資産)	164,285	149,740	-14,544	(流動負債)	37,336	30,316	-7,020
(非流動資産)	99,119	133,897	+34,777	(非流動負債)	5,533	5,980	+447
				資本	220,534	247,340	+26,806
合計	263,404	283,637	+20,233	合計	263,404	283,637	+20,233

= 資産の部 =

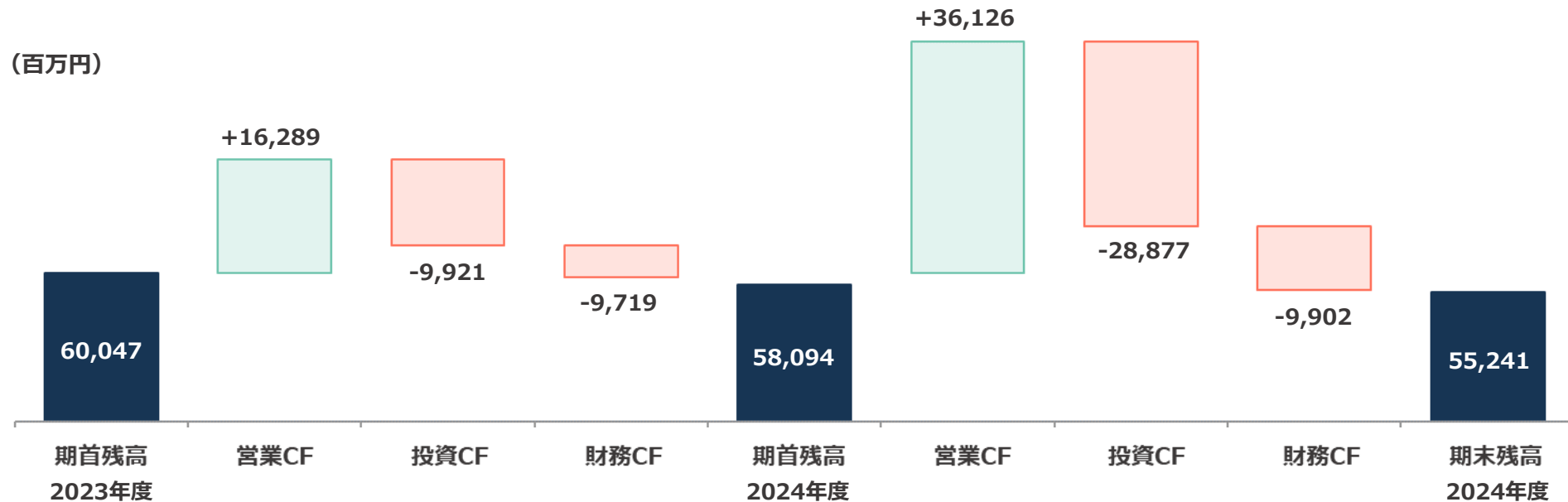
営業債権及びその他の債権	-4,945
無形資産	+23,195
その他の金融資産（非流動）	+6,630

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	-7,849
利益剰余金	+24,380

キャッシュ・フローの状況

(百万円)	2023年度 期末実績	2024年度 期末実績	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	16,289	36,126	+19,837
投資活動によるキャッシュ・フロー	-9,921	-28,877	-18,955
財務活動によるキャッシュ・フロー	-9,719	-9,902	-183
現金及び現金同等物の期末残高	58,094	55,241	-2,852



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
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコル・セラ°ユーティクス社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	承認：2025年後半	米国
申請中	NS-401 (タラキソフ°)	導入 メリアニ社	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
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジエネクスバイイ社	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	日本
	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコル・セラ°ユーティクス社	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	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-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 アトセ・セラピューティクス社	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 リジエ初スバイオ社	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：2026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

– 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

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤 －

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

－ 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 －

開発段階 : 申請中

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

－ ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 －

開発段階： 米国 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、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られ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

— 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〉

ウプロラビ[®]錠0.2mgおよび0.4mgに対する国内適応追加
ウプロラビ[®]錠小児用0.05mgの発売

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

－ 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
- 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P I / 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を産生させる
1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られ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： 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 : 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。