

2025年度 第1四半期 決算説明会

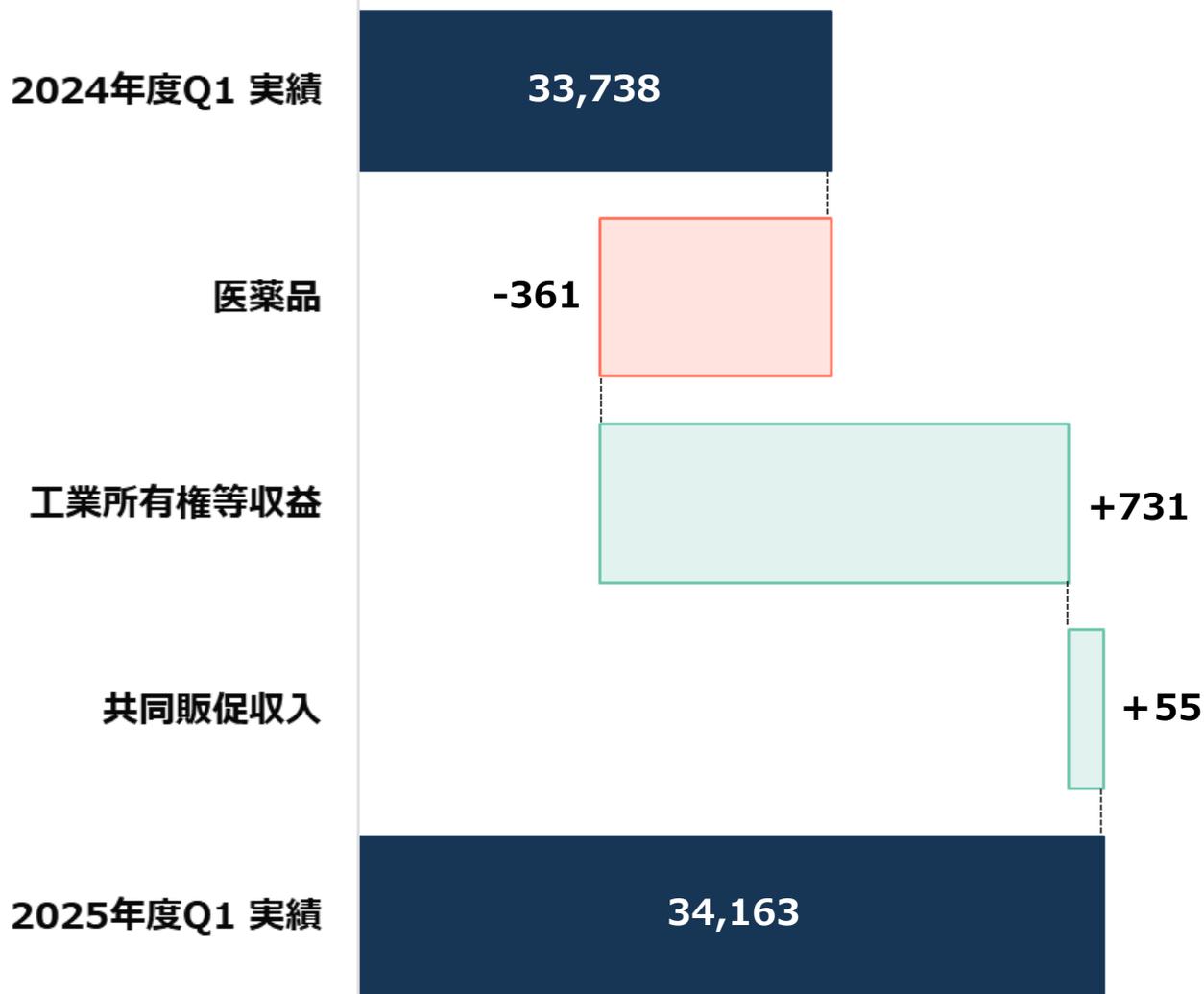
2025年8月7日
日本新薬株式会社

2025年度 第1四半期概要

(百万円)	2024年度Q1		2025年度Q1		差異	増減率
	実績	売上比	実績	売上比		
売上収益	39,131	100.0%	39,546	100.0%	+414	+1.1%
(医薬品)	(33,738)	(86.2%)	(34,163)	(86.4%)	(+425)	(+1.3%)
(機能食品)	(5,393)	(13.8%)	(5,382)	(13.6%)	(-11)	(-0.2%)
売上原価	12,636	32.3%	12,655	32.0%	+18	+0.1%
販売費及び一般管理費	9,221	23.6%	9,995	25.3%	+773	+8.4%
研究開発費	7,497	19.2%	6,189	15.7%	-1,308	-17.4%
その他の収益	1,507	3.9%	169	0.4%	-1,337	-88.7%
(為替差益)	(1,211)	(3.1%)	-	-	(-1,211)	-
その他の費用	204	0.5%	794	1.9%	+589	+288.8%
(為替差損)	-	-	(645)	(1.6%)	(+645)	-
営業利益	11,078	28.3%	10,081	25.5%	-996	-9.0%
金融収益	363	0.9%	468	1.2%	+105	+29.0%
金融費用	31	0.1%	46	0.1%	+15	+49.5%
税引前四半期利益	11,411	29.2%	10,504	26.6%	-907	-7.9%
法人所得税費用等	1,146	2.9%	2,248	5.7%	+1,102	+96.1%
親会社の所有者に帰属する四半期利益	10,264	26.2%	8,255	20.9%	-2,009	-19.6%

医薬品売上収益の内訳

(百万円)



● **医薬品 20,134百万円**
(対前年同四半期比 -361百万円 -1.8%)

- ✓ 薬価改定、後発品の影響 (ビダーザ等)
- ✓ ビキセオス、フィンテプラ、ウプトラビ等の売上伸長

● **工業所有権等収益 11,511百万円**
(対前年同四半期比 +731百万円 +6.8%)

- ✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入伸長

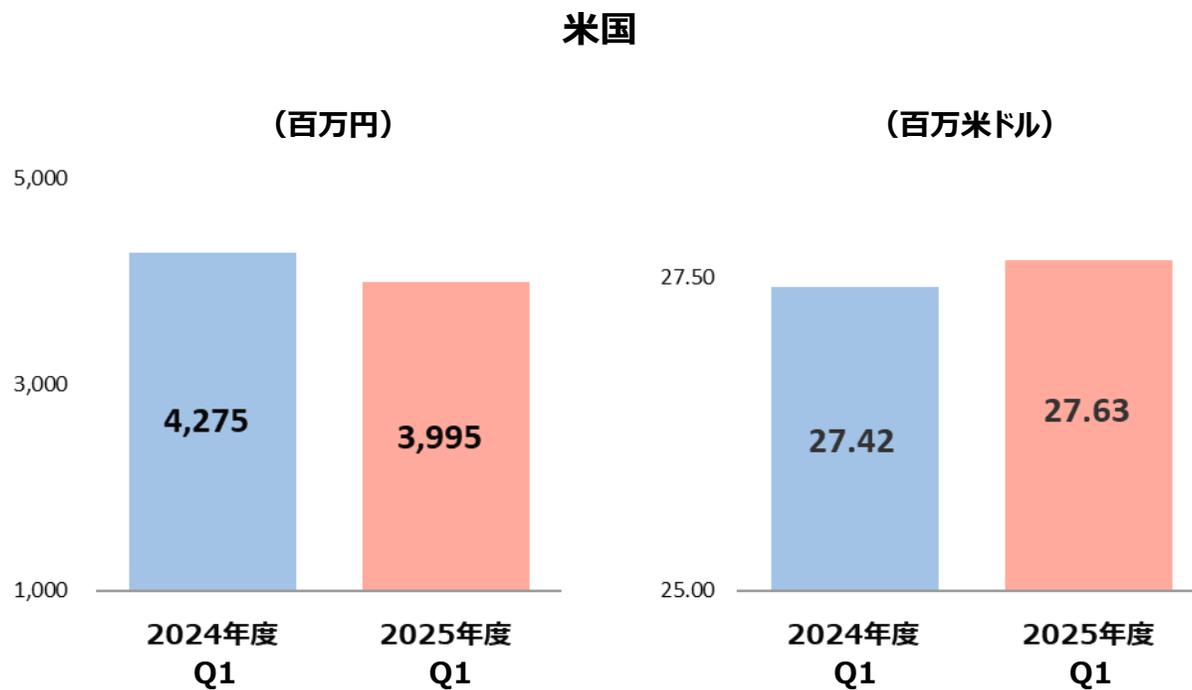
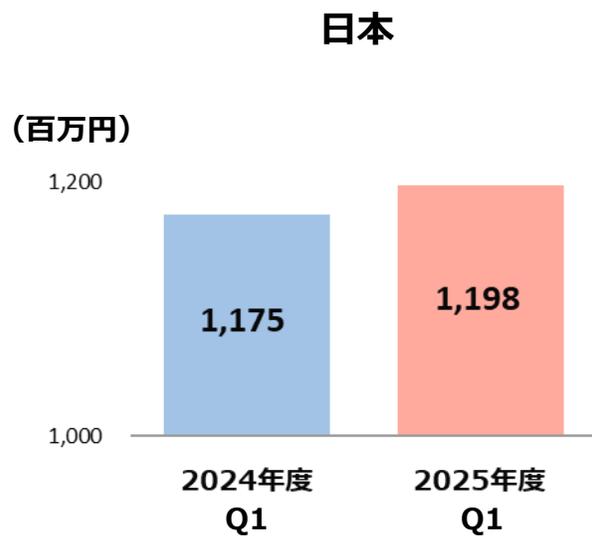
● **共同販促収入 2,517百万円**
(対前年同四半期比 +55百万円 +2.3%)

- ✓ ユバンシの発売

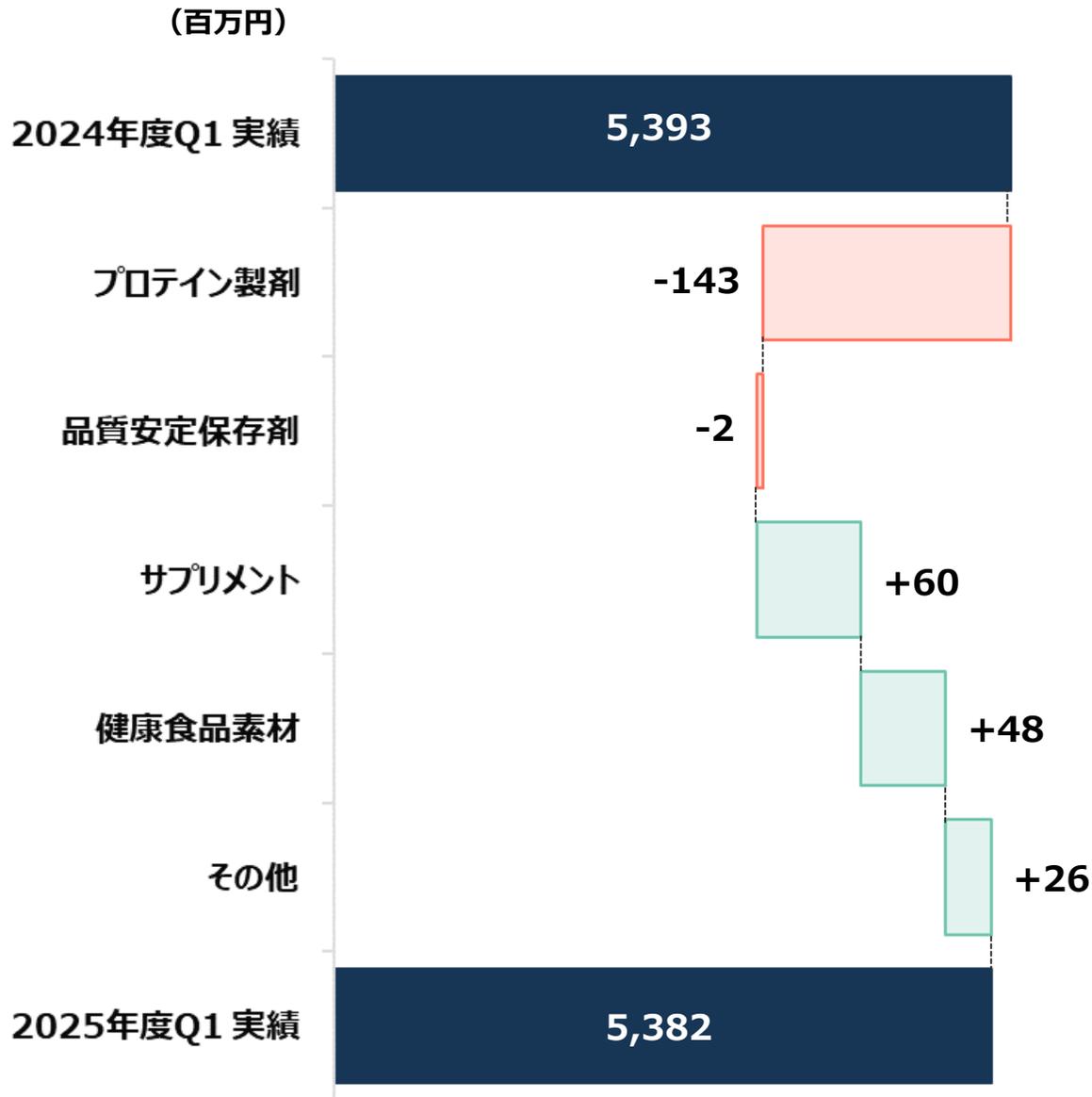
ビルテプソの売上

(百万円)	2024年度Q1 実績	2025年度Q1 実績	差異	増減率	2025年度 予想	2025年度Q1実績についてのコメント
日本	1,175	1,198	+23	+2.0%	4,800	✓ 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
米国 (百万米ドル)	4,275 (27.42)	3,995 (27.63)	-279 (+ 0.21)	-6.5% (+0.8%)	16,700 (119.28)	✓ P III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、投与患者数の伸びが鈍化
計	5,450	5,194	-256	-4.7%	21,500	

為替レート	2024年度Q1 実績	2025年度Q1 実績	2025年度 予想
円 (対米ドル)	155.9	144.6	140.0



機能食品売上収益の内訳



●**プロテイン製剤** 3,319百万円
(対前年同四半期比 -143百万円 -4.2%)

- ✓ 加工食品業界向けの販売価格下落
- ✓ ユーザーにおける安価な原料への切り替え

●**品質安定保存剤** 797百万円
(対前年同四半期比 -2百万円 -0.4%)

- ✓ 重点ユーザーへの提案型営業を推進中

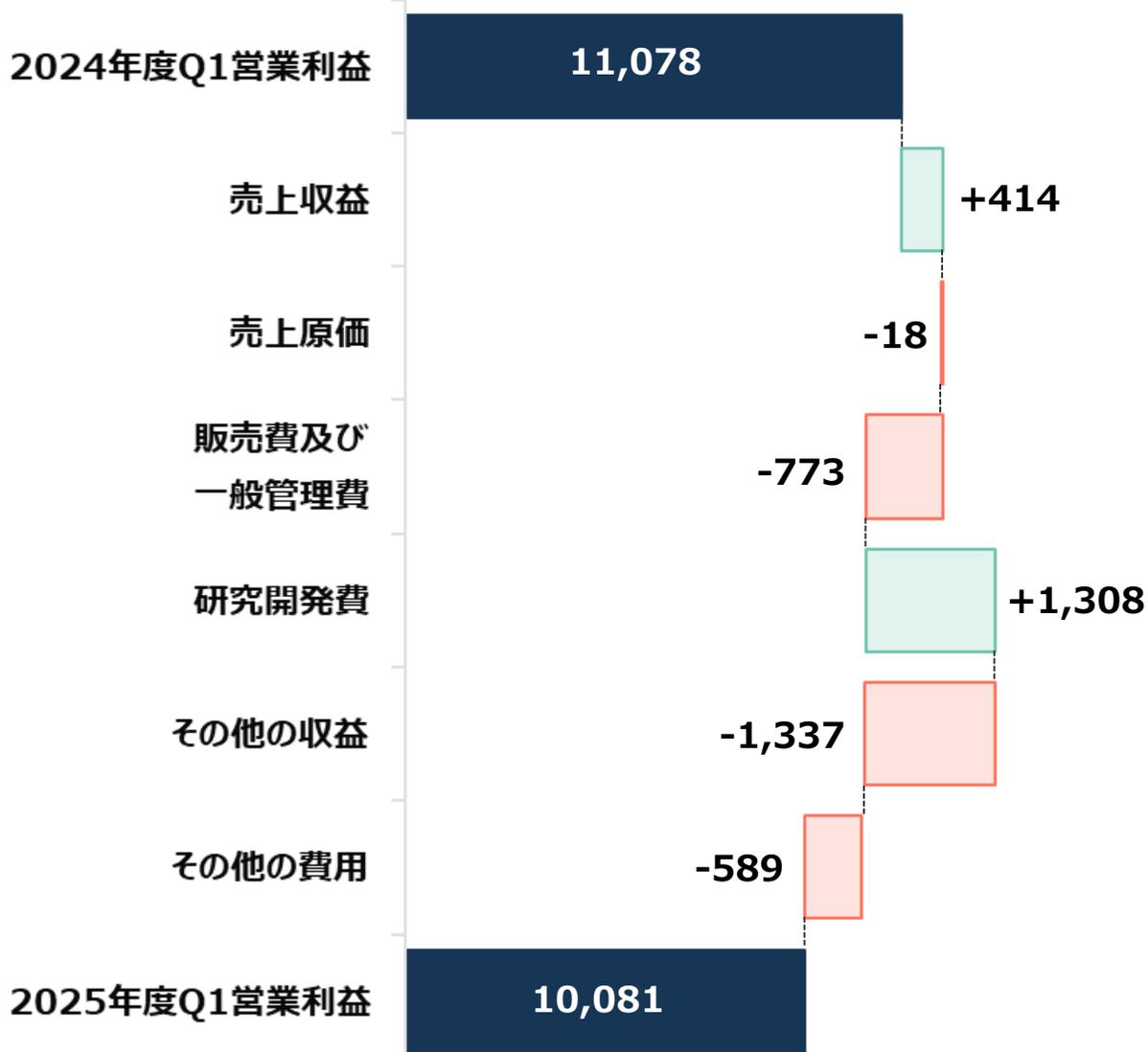
●**サプリメント** 612百万円
(対前年同四半期比 +60百万円 +10.9%)

- ✓ 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** 309百万円
(対前年同四半期比 +48百万円 +18.7%)

営業利益

(百万円)



●売上収益 39,546百万円
(対前年同四半期比 +414百万円 +1.1%)

- ✓ ビキセオス、フィンテプラ、ウプトラビ等の売上伸長
- ✓ 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 12,655百万円
(対前年同四半期比 +18百万円 +0.1%)
原価率：0.3ポイント改善

- ✓ 工業所有権等収益や医薬品構成比等の要因により改善

●販管費 9,995百万円
(対前年同四半期比 +773百万円 +8.4%)

- ✓ 米国子会社NS Pharmaにおける販売費用の増加
- ✓ ウプトラビの売上増加に伴う、販促活動委託料の増加

●研開費 6,189百万円
(対前年同四半期比 -1,308百万円 -17.4%)

- ✓ 治験薬に関わる原材料費等の減少

業績予想の修正

CAP-1002に関する米国承認見込み時期の変更に伴い今期業績予想を修正したが、利益は変更なし

(百万円)	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率
売上収益	173,000	166,000	-7,000	-4.0%
(医薬品)	(150,000)	(143,000)	(-7,000)	(-4.7%)
(機能食品)	(23,000)	(23,000)	-	-
売上原価	55,200	51,200	-4,000	-7.2%
販売費及び一般管理費	47,000	44,000	-3,000	-6.4%
研究開発費	39,500	39,500	-	-
その他の収益	600	600	-	-
その他の費用	1,900	1,900	-	-
営業利益	30,000	30,000	-	-
金融収益	700	700	-	-
金融費用	100	100	-	-
税引前利益	30,600	30,600	-	-
法人所得税費用等	6,600	6,600	-	-
親会社の所有者に帰属する当期利益	24,000	24,000	-	-

(ご参考) CAP-1002に関する
当社発表 2025年7月14日
<https://www.nippon-shinyaku.co.jp/news/news.php?id=3415>

*2025年5月8日 2024年度決算発表

2025年度予想の為替レートは1ドル=140円を想定。2025年度における第2四半期以降の為替感応度は1円の円安で売上収益が約3.6億円増加、営業利益が約3.3億円増加を想定。

予想損益計算書（連結）

為替レート（円、対米ドル）

(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率	為替レート（円、対米ドル）		
	実績	売上比	予想	売上比			2024年度Q1 実績	2025年度Q1 実績	2025年度 予想
売上収益	160,232	100.0%	166,000	100.0%	+5,767	+3.6%	155.9	144.6	140.0
（医薬品）	(138,654)	(86.5%)	(143,000)	(86.1%)	(+4,345)	(+3.1%)			
（機能食品）	(21,577)	(13.5%)	(23,000)	(13.9%)	(+1,422)	(+6.6%)			
売上原価	51,116	31.9%	51,200	30.8%	+83	+0.2%			
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	44,000	26.5%	+5,988	+15.8%			
研究開発費	34,341	21.4%	39,500	23.8%	+5,158	+15.0%			
その他の収益	874	0.5%	600	0.4%	-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	18.1%	-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	18.4%	-5,535	-15.3%			
法人所得税費用等	3,577	2.3%	6,600	4.0%	+3,022	+84.5%			
親会社の所有者に帰属する当期利益	32,558	20.3%	24,000	14.5%	-8,558	-26.3%			

2025年度における第2四半期以降の為替感応度は1円の円安で売上収益が約3.6億円増加、営業利益が約3.3億円増加を想定。

医薬品売上収益予想の内訳

(百万円)	2024年度		2025年度		年度差異	年度増減率
	Q1実績	年度実績	Q1実績	年度予想		
医薬品	20,496	83,898	20,134	85,900	+2,001	+2.4%
工業所有権等収益	10,779	45,585	11,511	47,500	+1,914	+4.2%
共同販促収入	2,461	9,170	2,517	9,600	+429	+4.7%
医薬品合計	33,738	138,654	34,163	143,000	+4,345	+3.1%

薬価改定や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. ビキセオス、フィンテプラ、ウプトラビ等の国内新製品群の伸長
2. ウプトラビの海外売上分のロイヤリティ収入の伸長

機能食品売上収益予想の内訳

(百万円)	2024年度		2025年度		年度差異	年度増減率
	Q1実績	年度実績	Q1実績	年度予想		
プロテイン製剤	3,463	13,485	3,319	13,900	+414	+3.1%
品質安定保存剤	800	3,278	797	3,400	+121	+3.7%
サプリメント	552	2,415	612	3,500	+1,084	+44.9%
健康食品素材	260	1,122	309	1,100	-22	-2.0%
その他	316	1,276	343	1,100	-176	-13.8%
機能食品合計	5,393	21,577	5,382	23,000	+1,422	+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

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（2025年5月8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-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
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	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	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 難治性のマンテル細胞リンパ腫	2024年8月
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症 (カプリコール社がFDAからCRL ¹ を受領)	2025年7月 (米国)
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型 (FDAがBLA ² を受領。PDUFA date ³ ：2025年11月9日)	2025年5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
PⅢ試験	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	—	ユーシービー社が、CDKL5欠損症を対象とした 国際共同PⅢ試験において、主要評価項目の達成を発表	2025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

1. CRL (Complete Response Letter)：審査完了報告通知。FDAが承認申請の審査が完了した時点で、現在の申請内容では承認を出せないと判断した場合に、申請者に対して発行する通知書
2. BLA (Biologics License Application)：生物製剤承認申請
3. PDUFA (The Prescription Drug User Fee Act) date：FDAによる審査終了目標日

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5月8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
ライセンス契約締結 (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 (米国および日本含むアジア)
	RGX-111	—	ムコ多糖症Ⅰ型	
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)
基本合意書締結 (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基本合意書を締結	2024年9月 (欧州)
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)
研究提携 (ボストン小児病院)	—	—	希少疾患に対する革新的な治療薬の開発を目的とした、 戦略的提携	2025年7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)
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)
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
論文掲載	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	第Ⅱ相試験 (Galactic53 trial) 結果 : Scientific Reports誌	2024年10月

CAP-1002 (deramiocele) アップデート

July 11, 2025



Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramiocele BLA for Duchenne Muscular Dystrophy

- FDA issued Complete Response Letter
- Capricor plans to resubmit its BLA to include data from the ongoing Phase 3 HOPE-3 trial in Q3 2025 to continue pursuing the indication for the treatment of cardiomyopathy associated with Duchenne muscular dystrophy
- FDA advised Capricor to request a meeting to determine next steps toward potential approval
- Conference call and webcast scheduled for today at 8:30 a.m. ET

SAN DIEGO, July 11, 2025 (GLOBE NEWSWIRE) – [Capricor Therapeutics](#) (NASDAQ: CAPR), a biotechnology company developing transformative cell and exosome-based therapeutics for rare diseases, today announced that it has received a Complete Response Letter (CRL) from the U.S. Food and Drug Administration (FDA) regarding its Biologics License Application (BLA) for Deramiocele, the Company's lead cell therapy candidate for the treatment of cardiomyopathy associated with Duchenne muscular dystrophy (DMD).

In the CRL, the FDA stated that it had completed its review of the application but is unable to approve the BLA in its current form, specifically citing that the BLA does not meet the statutory requirement for substantial evidence of effectiveness and the need for additional clinical data. The CRL also referenced certain outstanding items in the Chemistry, Manufacturing, and Controls (CMC) section of the application, most of which Capricor believes it has addressed in prior communications to the FDA. However, these materials were not reviewed by the FDA due to the timing of the CRL issuance. The FDA confirmed that it will restart the review clock upon resubmission. In addition, the agency offered the company the opportunity to request a Type A meeting to discuss the path forward. Capricor plans to engage further with the FDA to determine the appropriate next steps.

Capricor's BLA for Deramiocele was granted Priority Review in March 2025 and was supported by data from the HOPE-2 trial, its open-label extension (OLE), and natural history comparisons from FDA-funded datasets.

- ✓ カプリコール社は、CAP-1002のBLA¹承認申請に関して米国FDA（食品医薬品局）から審査完了報告通知（Complete Response Letter²）を受領。
- ✓ 今後については、カプリコール社がFDAにType-A meeting³の開催を要請中。

1. BLA (Biologics License Application) : 生物製剤承認申請
2. Complete Response Letter (CRL) : FDAが承認申請の審査が完了した時点で、現在の申請内容では承認を出せないと判断した場合に、申請者に対して発行する通知書
3. Type-A meeting : CRL受領等によって承認申請プロセスが滞った製品開発プログラムに対するFDAとの協議の場。

出所 : 2025年7月11日 カプリコール社プレスリリース
[Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramiocele BLA for Duchenne Muscular Dystrophy :: Capricor Therapeutics, Inc. \(CAPR\)](#)

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	2024年度Q1 実績	2025年度Q1 実績	差異	増減率	2025年度 予想
ビルテプソ		5,450	5,194	-256	-4.7%	21,500
(内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	(1,175)	(1,198)	(+23)	(+2.0%)	(4,800)
(内. 米国)		(4,275)	(3,995)	(-279)	(-6.5%)	(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	3,855	4,375	+520	+13.5%	16,800
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病治療剤	847	1,447	+599	+70.7%	7,300
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	1,254	1,180	-74	-5.9%	5,200
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	1,462	1,022	-440	-30.1%	3,100
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	302	887	+585	+193.6%	4,000
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	709	650	-58	-8.3%	2,500
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	778	571	-206	-26.6%	2,000
シアリス	勃起不全 (ED) 治療剤	647	557	-89	-13.9%	2,500
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	-	-	-	-	-
共同販促収入		2,461	2,517	+55	+2.3%	9,600
工業所有権等収益		10,779	11,511	+731	+6.8%	47,500
医薬品合計		33,738	34,163	+425	+1.3%	143,000

業績予想における2025年度の為替レートは1USD=140円を想定。2025年度第2四半期以降における為替感応度は1円の円安で売上収益が約3.6億円増加を想定。

機能食品売上収益の内訳

(百万円)	2024年度Q1		2025年度Q1		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	3,463	64.2%	3,319	61.7%	-143	-4.2%	13,900
品質安定保存剤	800	14.8%	797	14.8%	-2	-0.4%	3,400
サプリメント	552	10.3%	612	11.4%	+60	+10.9%	3,500
健康食品素材	260	4.8%	309	5.7%	+48	+18.7%	1,100
その他	316	5.9%	343	6.4%	+26	+8.4%	1,100
機能食品合計	5,393	100.0%	5,382	100.0%	-11	-0.2%	23,000

財政状況

(百万円)	2024年度 期末実績	2025年度 Q1実績	差異		2024年度 期末実績	2025年度 Q1実績	差異
資産	283,637	289,625	+5,987	負債	36,297	37,791	+1,493
(流動資産)	149,740	157,667	+7,927	(流動負債)	30,316	31,964	+1,648
(非流動資産)	133,897	131,957	-1,939	(非流動負債)	5,980	5,826	-154
				資本	247,340	251,834	+4,493
合計	283,637	289,625	+5,987	合計	283,637	289,625	+5,987

= 資産の部 =

現金及び現金同等物	+3,036
棚卸資産	+3,199
その他の金融資産（非流動）	-1,980

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	+1,335
利益剰余金	+5,897

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 (ピルトラルセン)	共同 国立精神・神経医療研究センター	新成分	デュシエンヌ型筋ジストロフィー	—	日本・米国
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコール・セラ°ユーティクス社	新成分	デュシエンヌ型筋ジストロフィー心筋症	—	米国
申請中	NS-401 (タ°ラキアス°)	導入 メ°リ°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°ス°バ°イ社	新成分	ムコ多糖症Ⅱ型	PDUFA date ¹ 2025年11月9日	米国
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携 ユー°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°リコール・セラ°ユーティクス社	新成分	デュシエ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°ライリ°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

1. PDUFA (The Prescription Drug User Fee Act) date : FDAによる審査終了目標日

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)	共同 国立精神・神経医療研究センター	新成分	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026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	共同 国立精神・神経医療研究センター	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 アセナ・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：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

※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

－ 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

－ 閉塞性動脈硬化症治療剤 －

開発段階 : <ASO> PⅡb試験

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)

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。