2024年度
スモールミーティング

2025年2月18日
日本新薬株式会社

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

本日の内容

01 イントロダクション
代表取締役社長　中井 亨

02 Q&A

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

新製品の上市目標

2024年05月27日開示「第七次5ヵ年中期経営計画（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、導入品として毎年1品目以上の獲得を目指す。

赤字：変更箇所

	2024年度（実績）	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 （ジャイパーカ） ：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-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心筋症		NS-089/NCNP-02 （米） ：DMD	NS-050/NCNP-03 （米） ：DMD
		RGX-121 ：段階的承認申請中			NS-065/NCNP-01 （欧、中） ：DMD

ATSN-101、RGX-111：中計期間内の発売を目指す

※ 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

キャピタル・アロケーション

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

キャッシュ原資

- 5年間の営業CF
  2,750億円
  （研究開発費控除前）
- 手元資金等
  950億円

アロケーション

成長投資

- 研究開発費
  1,900億円
  → グローバル開発推進に向けた積極投資
- 設備投資
  380億円
  → 成長に応じた研究開発施設・製造施設の新設および改修、デジタル投資
- 機動的アロケーション
  1,000億円
  → 成長戦略の実行に向けたライセンス導入や海外拠点の整備
  自己株式の取得による株主還元も検討

還元

- 配当
  420億円
  → DOEを勘案しながら安定的な配当を継続

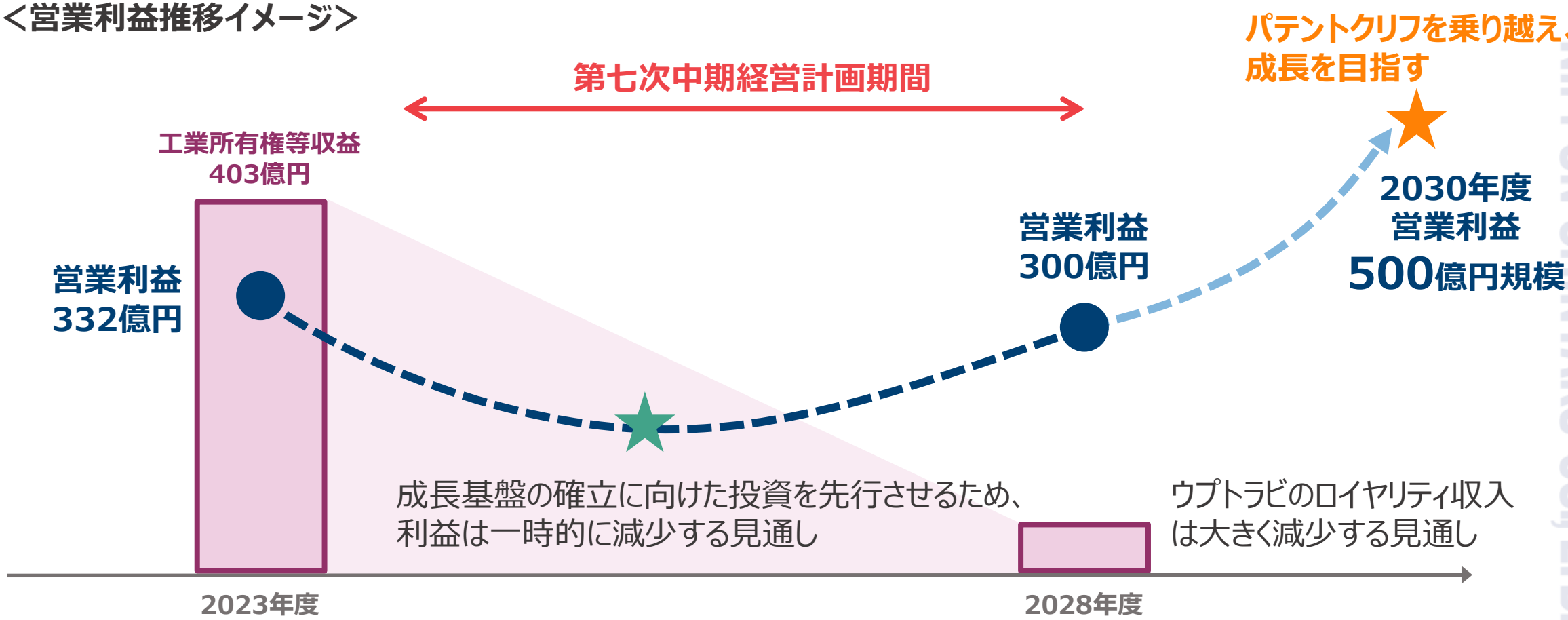
2024年05月27日開示「第七次5ヵ年中期経営計画（2024年度−2028年度）
~For Global Growth Beyond the Cliff~」p.39より改変

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

パテントクリフを乗り越え成長する基盤の確立

日本新薬の成長を支えてきたウプトラビは2027年度に特許切れを迎え、ロイヤリティ収入が大部分を占める工業所有権等収益は大きく減少する見通し。
第七次中期経営計画期間は、将来の成長に向けた投資を先行させ、パテントクリフを乗り越え、ロイヤリティ収入に依存しない収益基盤の確立に注力する。

＜営業利益推移イメージ＞



2024年05月27日開示「第七次5ヵ年中期経営計画（2024年度−2028年度）~For Global Growth Beyond the Cliff~」p.17より

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

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。

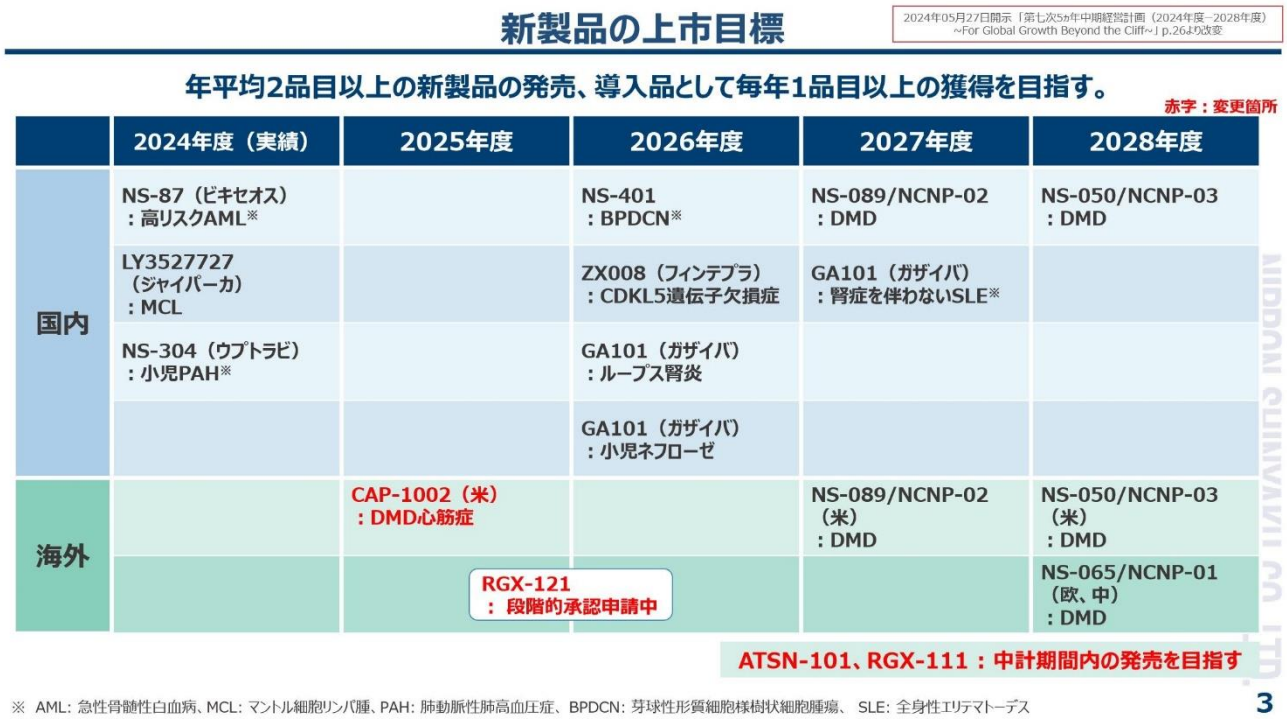
➢また、承認済み製品に関しては、製造およびマーケティングのリスクがあり、需要を満たす製造能力を欠く状況、原材料の入手困難、他社との競合などが含まれますが、これに限定されるものではありません。

➢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。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

中井：日本新薬、社長の中井亨でございます。セルサイドアナリストの皆さまをお招きしてスモールミーティングを開催させていただきます。

はじめに、私から第七次中計の説明会の中でお示ししましたスライドの中からいくつかピックアップして改めて説明させていただき、その後に Q&A を実施させていただきます。よろしくお願いいたします。

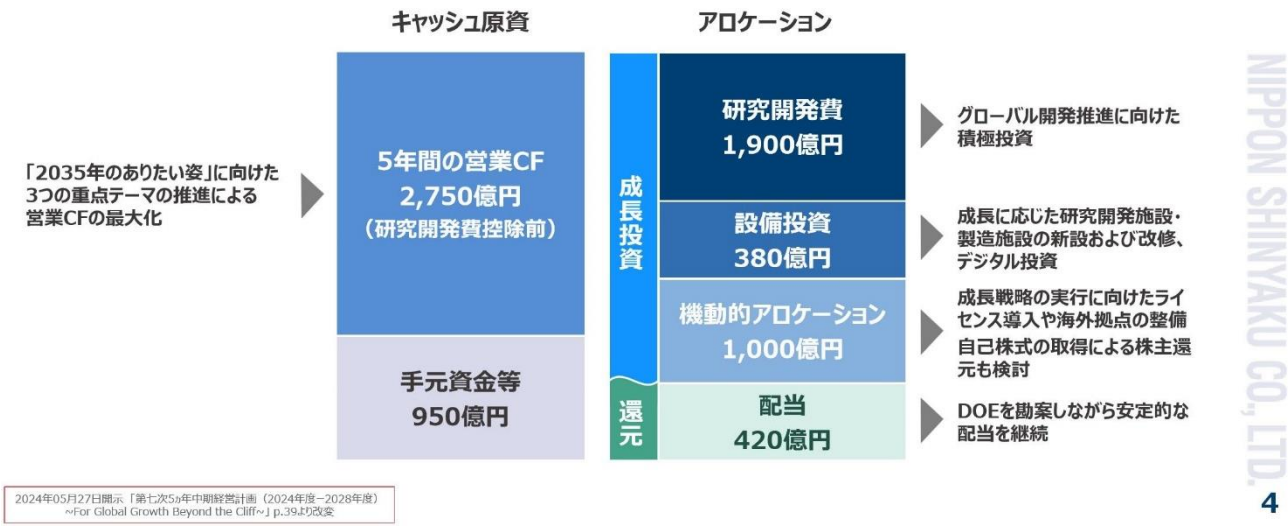


こちらは第七次中計期間中の年度別上市目標をお示しした表です。R&D 説明会でもご紹介させていただきました細胞治療薬の CAP-1002 につきましては「デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症」を期待適応症としてローリング BLA 申請を完了しており、来年度中に上市できると考えています。現在は発売に向けた販売の準備を進めております。

その他、新しく導入した品目につきまして、ATSN-101 は第Ⅲ相試験の準備中であり、第七次中計期間内に上市できるよう開発を進めております。

RGX-121 については、米国において段階的承認申請を実施中で、RGX-111 については、第Ⅰ/Ⅱ相試験を実施中であり第七次中計期間中での上市を目指しています。

第七次中計の発表時にお示しした予定通り、年平均 2 品目以上の新製品の発売と、1 品目以上の導入品獲得に成功しております。

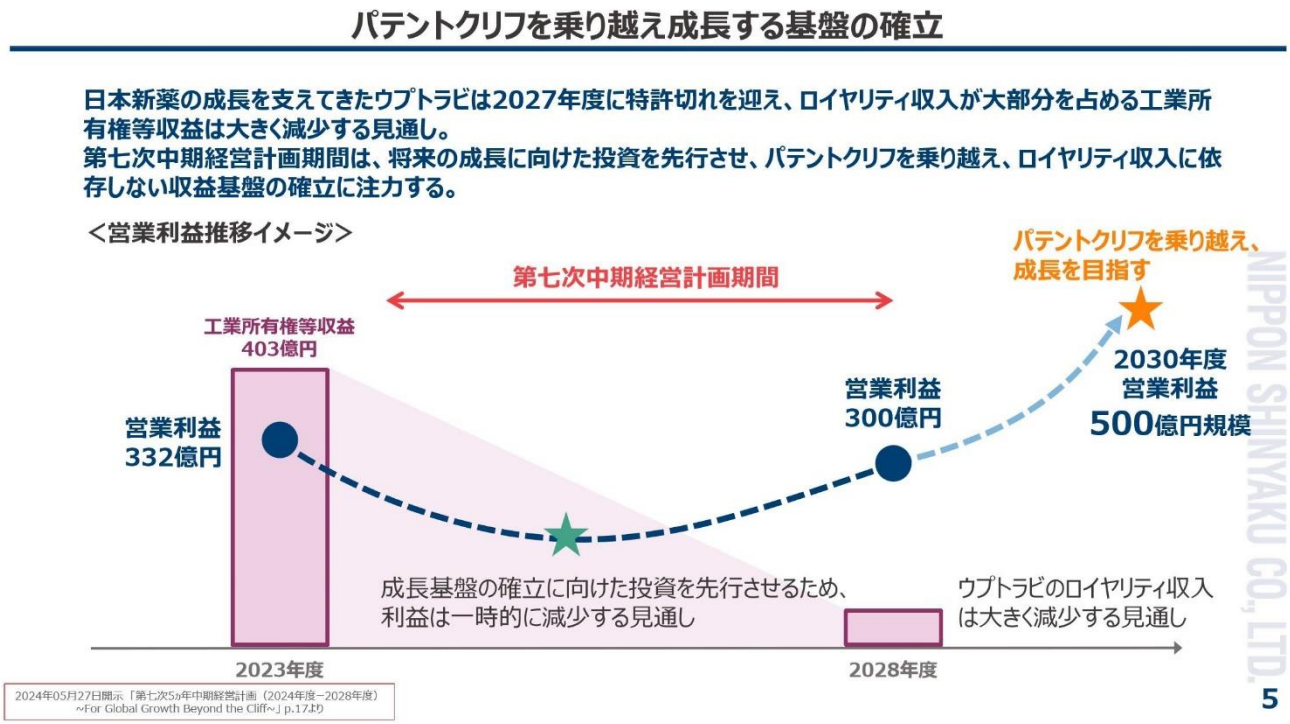


こちらのスライドでは第七次中計期間中のキャピタル・アロケーションの基本的な方針をお示ししております。

政策保有株式の売却や必要に応じた借り入れも含めて財務の健全性を確保し、当社の持続的な成長に必要な戦略投資を積極的に実施する方針です。

研究開発に関する投資として研究開発費は 5 年間で 1,900 億円を予定しており今後も積極的に投資を行ってまいります。

また、M&A や導入品の獲得などの成長投資、自己株式の取得も含めた機動的なアロケーションとしては 1,000 億円、株主還元としては総額 420 億円としています。



こちらは第七次中計期間中の営業利益の推移を表したイメージ図です。当社の成長を支えてきたウプトラビは 2027 年度に特許切れを迎え、ウプトラビの海外売上にともなうロイヤリティ収入は大きく減少する見通しです。

DMD 領域では、日米の市場においてビルテプソが競合品の影響を受けることも予想されますが、CAP-1002 については想定よりも早いタイミングで上市できる可能性があるなど状況が変ってきております。

そのような中で、これまでも将来の成長に向けた投資を先行して行っており、今後、利益は一時的に減少する見通しですが、パテントクリフを乗り越え、ロイヤリティ収入に依存しない収益基盤の確立に注力し、2028 年度に営業利益 300 億円、またその先の 2030 年度には営業利益 500 億円規模を目指します。

以上で私からの説明を終わらせていただきます。

セルサイドアナリストスモールミーティングQ&A（要約）

2025年2月18日開催

No.	質問内容	回答
1	第七次中計期間の機動的アロケーションとして1,000億円を確保していると以前伺った。今期のキャッシュフローでは、無形資産の取得が3Qまでに131億円あり、4QにREGENXBIO社に契約一時金として110百万米ドル支払うと、合計で300億円程度になると思う。ウプトラビのパテントクリフに向けて多くの品目を導入するため、計画期間内の早い段階でキャッシュを使っているのか。このペースの導入が今後も続いてもキャッシュは足りるのか。	交渉が失敗することや競合に負けることも織り込んで考えていたが、BDチームが期待以上の成果を上げ、良い案件を複数獲得した。今後レイトステージの品目が揃ってくれば、よりアーリーステージの品目にパートナリングの機会を求めていく必要がある。適宜、キャピタルアロケーションの枠内で機動的に判断していく。
2	冒頭のプレゼンテーションでは昨年5月の新中計説明会の際の資料を主に用いているが、先ほど社長の方から、当時の想定と違っているというニュアンスで説明していた点が2点あったと思う。改めて現時点で想定と違っているところを良い面・悪い面から整理してほしい。研究開発費については、5年間の総額のみを示していたが、私の理解では2026年度が費用のピークで、その後費用は少し減っていくと理解している。そういうところも変わってきていないのか。また、研究開発費の5年間での総額1,900億円についてはどう見ているのか。営業利益の数値目標について、達成確度は上がっているのか。	ご指摘の通り、2026年度頃に営業利益の水準が最も低くなり、そこから上昇していくというイメージで考えていた。前提として変わってきている点の1つはCAP-1002であり、発売が1年前倒しになっている。また、DMD心筋症という期待適応症になった。元々は上肢機能を維持・改善する薬剤であるという想定で売上を考えていたが、心筋症で使えるとなると、他に薬剤がない疾患に対する品目ということになる。そのため、売上が中計時点での見通しから上振れるポテンシャルが十分にある。もう一つは研究開発の動向である。ビルテプソについては301試験と同じような試験をもう一度実施するという前提でいたが、303試験はもう少しサイズが大きく試験期間も長くなるかもしれない。加えて、後続のエクソンスキッピング薬の治験の進展が想定より少し後ろにずれている。結果的に、研開費は想定より増える傾向にある。だが、その増える研開費をカバーできるくらいの導入品等の売上が見込まれ、トータルで見ると、今後の収益は第七次中計での想定を上回る自信を持っている。
3	費用も増えるが、売上も増える。トータルで見ると、営業利益2028年度300億円、2030年度500億円の達成確度は上がっているという理解で良いか。	その理解でよい。

4	中計の進捗について、ビルテプソの迅速承認維持および CAP-1002 の上市の 2 つで 2028 年度の定量目標を達成できるポテンシャルがあるか。	達成可能と考える。
5	利益率を含めて達成できるのか。ビルテプソの売上がフラットになっていく中で、RGX-121/111 についてはアジアでの開発販売権も導入しているため、アジアへの投資もしていくとなると、2028 年度の営業利益率 13%は達成のハードルが高いのではないか。	アジアに関しては、まだ中国にしか自社販売網がなく、アジアでの RGX-121/111 の売上はまだ試算に織り込んでいない。アジアでの展開についてはまだ先の話だと考えている。
6	3Q 決算発表時にビルテプソの売上がフラット化していくというメッセージがあった。実際に遺伝子治療の影響が出てきたことになる。社長のお考えとしては、ビルテプソはどこでピークアウトするのか。	ビルテプソの投与患者数は今年度初めから現在までに若干増えている。今年度に入り新規獲得した患者はそれなりにいるが、その一方で保険の審査が通らなくなった患者さんも出てきており、また、2, 3 例が遺伝子治療にスイッチした。米国ではビルテプソの投与を希望するスタートフォームの登録患者数はまだ増えており、新規で入ってくる患者は今後もそれなりに増えていくと予想されるが、脱落が今年度に入ってから過去より見られるため、全体の伸びがフラットになってきている。
7	保険審査が通らなくなったのは、ビルテプソの投与データが 4 年しかないからなのか。	4 年しかデータがないからではなく、個々の患者さんの状況と保険会社のポリシーとの見合いで償還の判断をされた結果である。例えば、6 分間歩行での一定基準を求めるポリシーを持つ保険会社の場合は歩行不能患者にはビルテプソを償還しないと判断するため、症状が進行すると保険償還されないケースが出てくる。それでもビルテプソを使いたい患者さんは民間保険会社からメディケイドに移行し、ビルテプソを継続する判断をされている。
8	日本では既に患者数の伸びがフラットなので、遺伝子治療が出てくれば少し投与患者数が減るかもしれない。一方米国はまだフラットになるには早いのではないか。来年度からフラットになるのか。	もう少し売上は伸ばせると私個人は思っている。CAP-1002 の上市準備の方に NS Pharma（以下、NSP）のコマーシャル部隊も注力し始めていて、ビルテプソに対する動きがスローになっていたかもしれない。昨年末から現在にかけて新規の登録患者数のペースが戻ってきているため、NSP のビルテプソに対する注力度をコントロールしながら進めていけばまだ伸びると考えている。

9	ビルテプソの迅速承認の維持について、4 月頃の Type C Meeting でビルテプソが販売停止になったら影響が大きい。御社のコメントからすると迅速承認は維持できるのではないかと思う。なぜステータスが維持されるのかについて、合理的で納得のいく、自信が持てるような説明をしてほしい。	去年 10 月に Type C Meeting を行う予定で、事前にブリーフィングドキュメントを提出していた。その中身は 301 試験結果の総括と 303 試験の簡単なプロトコルの概要である。それに対して FDA からのレスポンスが事前に来た。その内容は、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見たいということと、ブリーフィングドキュメントを見る限りだと 303 試験のプロトコルはリーズナブルだが、それを判断するには 301 試験のフルデータセットと 303 試験のフルプロトコルが必要だということだった。つまり、当社の考え方の簡略版を見て FDA はリーズナブルだと言ってきている。それを根拠として、FDA は当社の考え方を否定的に考えていることは感じ取れないと考えている。
10	301 試験が認められ、一定の可能性が見出されるのであれば、後は 303 試験のプロトコル次第だと考える。301 試験が評価されるのかも気になるがそこは大丈夫か。	DMD の分野における完成した P3 試験のデータとしては、301 試験が初めてのものである。プラセボのデータも含め、1 年間データをきちんととっているので貴重なデータとして評価されるだろう。
11	バイオマーカーとしてジストロフィンが増えることに意味があるという考え方はまだ変わっていないのか。	他社の薬剤についてもサロゲートエンドポイントで迅速承認がされることもあるので、その見解については変わっていない。
12	303 試験のフルプロトコルは予定通りに提出できるのか。	2 月末、遅くとも 3 月の頭には出したいと考えている。
13	昨年 12 月に提出した総括報告書について FDA から何らかの回答はなく、提出後 2-3 か月は待つのか。	現時点では未だ FDA で解析中だと思われる。
14	中井社長が米国に出張されて DMD の専門家とも面談されている中で、遺伝子治療薬の正式承認やビルテプソ 301 試験の結果発表について治療継続の意向等、どのような反応を得ているか。サレプタの遺伝子治療薬を投与している医師の意見も知りたい。	ビルテプソを患者に投与している医師は 301 試験の結果と実臨床での効果の実感は分けて考えているようだ。そのため、試験結果発表でビルテプソの処方が劇的に減っているということは無い。サレプタ社の開示を見る限り Elevidys の患者数は伸びているようで、実際、患者本人および家族からの「遺伝子治療は一回で治るのではないのか」という期待から医師が治療を検討することもあると聞いている。

15	ビルテプソについては、一部遺伝子治療の影響が出ているものの、もう少し売上を伸ばすことができるという説明をされていた。後続のエクソンスキッピング薬については患者数も減りこれまで御社が描いていた売上を獲得するのは難しいのではないかと思われ、後続品の開発をこれまで通り続けることに関しては議論の余地があるのではないか。また、御社は元々ビルテプソの販売についてパートナリングも視野に入れていたと思うが結果的には自社で販売を進めて成果が出てきている。一方、サレプタ社が出てきたことで DMD 領域の競合状況が変わってきている。今後新しい製品が出てくればまた状況も変わってくる中で、今後も御社は自社のみで開発を続けるのか。研開費として 5 年間で 1,900 億円使う予定ということだが、サレプタ社と比較すると小さい額であり、かつ彼らは米国市場に特化している。御社の開発方針で、今後も持続的な成長ができるのか。	実際に今の PMO、エクソンスキッピング薬に関する競合の状況が変わってきているのはご指摘の通りである。NS-089 についても Avidity 社の開発する競合品の試験結果が出てくることになる。一方、有害事象としてシリアスなものが 2 件出てきているようだ。その中で承認が取れるのか、など個別の競合品の状況やタイミングは当社も注視している。また、DMD 市場には遺伝子治療 Elevidys があるが、当社が DMD 領域でどのように開発していくのかは日頃から取締役会で話をしている。他社との協業でいうと、カプリコール社が PMO にエクソソームを付加したもののデータを学会で発表したという話があり、そういった PMO に何かを付加するという DDS の研究は検討している。カプリコール社に限らず他のアカデミアやベンチャーの動向も見ている。今開発中の PMO だけでは他の大きな企業と組むには時期が少し遅れているように思うが、その先に、PMO に何かを付加した新しい品目を開発して他の企業とやっていくことは十分考えらえる選択肢である。何か新しい可能性を見つけた時に自社での開発と他社と組んだ場合どちらが早く開発できるのか等、十分に考えていく。
16	サレプタ社の動向を見ながら、今後の動きに応じて柔軟に御社の開発戦略を変えていけると見てよいか。	そこは柔軟に機動的に考えていきたい。
17	サレプタ社はエクソンスキッピング薬の開発を中止したが、なぜだと思うか。モダリティの将来性を見通したのか、Elevidys に集中するというコマーシャル上のメッセージなのか。	従来のエクソンスキップ薬あるいは遺伝子治療薬は迅速承認を得て発売後に P3 試験を行っているが、サレプタ社の PPMO は安全性の面で FDA に同じように進めるのは無理だと言われたことが開発中止に至った大きな原因の一つではないか。FDA は PMO の安全性を評価しているからサロゲートエンドポイントで市場に出してよいと判断するわけで、安全性に懸念がある品目の迅速承認については厳しく見るのではないかと考える。今後当社が PMO に次ぐ新しい技術での開発を進めることにおいても、安全性が担保できるのであればこれまでの pathway でいけるであろうし、そうでなければ違った疾患を狙う等、機動的に動いていく。

18	CAP-1002 のプレマーケティング活動で米国の待機患者は把握しているか？	売上・費用の予測は今後しかるべきタイミングでご案内する予定である。米国の保険者に対して CAP-1002 の処方意向・価格についての調査を行った。保険者側想定患者数によるが、ビルテプソと同程度の年間薬剤費であれば償還意向は強い。先ほどの R&D 説明会で他のアナリストから頂いた質問への補足回答となるが、当社では投与対象患者数は LVEF（左室駆出率）35%から 55%程度であろうという感触は得ており、具体的患者数を精査中である。LVEF 35%以下は治療するには病状が進みすぎており、55%を越えると健常者に近く保険償還されづらいのではないかと考えている。また、凍結薬剤の CAP-1002 のウルトラコールドチェーンに対応可能な施設の認定など、ロジスティクス面での整備を進める中でより具体的な投与患者数が予測できると考える。
19	CAP-1002 の待機患者数は具体的に何名程度か。	ベースとなるのは現在臨床試験に参加している 100 名超の患者さんであり、どの施設で投与される予定か、既に当社で把握している。そこにプラスして、ポテンシャルとして心筋に異常のある DMD 患者さんにどうアプローチするかであるが、ビルテプソの対象であった小児神経科医に加え小児循環器科の医師への活動を現在調査、検討中である。
20	Elevidys は上市後は待機患者に多く使われ、いったん落ち着いた後にまた直近の四半期で増加している。CAP-1002 の売上においても同様の動きが期待されるか。	現在臨床試験に参加している 100 名超が待機患者と言えるが、それに加え、これまでに治療法がなかった疾患であるため、どれだけ潜在的な患者を見つけられるかだと思う。
21	CAP-1002 について、ロサンゼルスとサンディエゴにある各製造施設の薬剤の同等性は非臨床試験で証明できるため、HOPE-3 試験コホート B については、同等性を証明する試験ではなく、コホート A と結合することで n 数を広げていくことが実施の意図になったのか。	仰る通り、単に n 数を増やすということで試験を進めている。

22	ビルテプソと遺伝子治療の両方を償還する保険者もいるという説明を以前御社から伺ったが、保険者の現在の償還傾向は。現時点では併用する患者さんはほとんどいらっしゃらないため、保険者の考え方もまだ見えていないのか。今日の説明会でムコ多糖症治療における遺伝子治療と酵素補充療法の併用の可能性に言及されていたが、私自身は併用のエビデンスがないと厳しいのではないかと考えている。	エクソンスキッピング薬と遺伝子治療の併用データはない中で、遺伝子治療を投与した後に病態が悪化した患者さんにはエクソンスキッピング薬を投薬しても償還するというポリシーを掲げる保険者は何社かあると昨年ご案内した。仰る通り遺伝子治療の発売からまだ 1 年経っておらず、投与後に病態が悪化してエクソンスキッピング薬を使いたいという患者さんがまだ出てきていない。そのため、今のところそういったポリシーを満たす患者さんは入ってきていない。保険者としてはデータがないと償還をしづらいという考え方はある。その一方で、この疾患領域では安全性に問題がないのであれば人道的視点や倫理的視点から併用は認めると判断する保険者もいる。事前審査は通らなかったが、その後医師との交渉の結果、償還に至るというのが現実的に起こっている。余談だが、CAP-1002 は他のモダリティの薬剤を使っている患者さんも治験に入っているため、保険者も併用を認めやすくなるであろう。
23	多くの患者さんの間では遺伝子治療とエクソンスキッピング薬が併用できることに理解が広がりつつあるのか。	そうである。
24	ムコ多糖症についても同じことがいえるか。	ムコ多糖症治療では酵素補充療法よりも遺伝子治療である RGX-121/111 を先に使っていただくことによって、患者さんが酵素補充療法フリーになることを狙っている。酵素補充療法中の患者さんが RGX-121 を投与して酵素補充療法フリーになったデータを示すことで、保険者も 2 つの療法の順番や使い方をポリシーに反映してくれると考えている。
25	RGX-121/111 は脳の中に投与するのに、酵素補充療法が必要なくなるというのはどういうメカニズムなのか。	局所投与ではあるが、完全に脳に留まらずに少し脳の外に出るのでそれによって脳以外、中枢以外のところでも酵素が産生される。

26	遺伝子治療剤を複数導入したが、次は中枢神経系をやりたい・CMC に対するノウハウを学びたいということで局所に効く中枢神経系品目を選ばれたと先ほどの R&D 説明会で伺った。各品目でどの程度の売上やマーケティング等の包括的な販売戦略を計画しているか。例えばムコ多糖症は早期治療が望ましいが、出生時の診断がどこまで出来ているか等、広い米国をカバーするには相応のマーケティング費用が必要と推測する。	ATSN-101 は類薬のルクスターナ（年間米国売上の約 50 百万米ドル）に比べ対象患者が若干多いため、それ以上を期待している。RGX-121/111 は REGENXBIO 社資料にも記載があるが、ムコ多糖症Ⅱ型（RGX-121）の推定患者数は米国 500 名、日本 165 名である。競合品の米国売上高はエラプレース（ムコ多糖症Ⅱ型酵素補充療法）が 196 百万米ドル、アウドラザイム（ムコ多糖症Ⅰ型　酵素補充療法）が 71 百万米ドルであるが、RGX-121/111 は早期投与が可能で酵素補充療法を置き換えていけるポテンシャルがあるオポチュニティであり、相応のプロモーション活動・コマーシャル部隊を投じていく。
27	患者によっては軽症のため酵素補充療法で足りる例もあるであろうし、RGX-121/111 は脳に直接投与で侵襲性が高い。対象患者は推定患者数よりも少ないのではないか。	疾患重篤度や競合状況を考えると全員が投与対象とは考えていない。対象患者は 500 名の半分程度なのか等の分析を進めており、今後、売上ガイダンス公表時に併せてご案内したい。
28	保険償還についてお聞きしたい。先ほど、歩行機能を失ったビルテプソ投与患者の保険償還が外された事例をお聞きした。早期治療が望まれる疾患領域で 4～6 歳といった症状が進んだ状態で遺伝子治療の期待される効果は限定的とみられ、保険償還される見込みはあるのか。医療費に対する議論が高まる米国において、上市が見えている中でどのように保険償還対策を進めていくのか。患者団体や保険者との話し合い等があれば教えて欲しい。	RGX-121 の P1/2/3 試験対象患者は 4 か月以上 5 歳未満である。 ムコ多糖症Ⅱ型は米国のいくつかの地域で新生児マススクリーニングが始まっており、今後確定診断が早まると思われる。
29	AI 創薬が活用できるモダリティとして、遺伝子治療も含まれるのか？神経筋疾患領域と血液がん領域で各 1 品目が非臨床に進んだとのことだが、どのくらいの期間で今後前臨床のプロダクトが出るのか。	AI 創薬はデータ量が必要で主に低分子薬で活用されており、遺伝子治療はまだデータ量が不十分である。当社の重点領域の希少疾患においてもデータ量が限られているが、年間 2 品目は期待している。数よりもスピードを優先して活用している。