



# 日本新薬

日本新薬株式会社

2025 年度 IR ミーティング

2026 年 3 月 2 日

# イベント概要

---

[企業名] 日本新薬株式会社

[企業 ID] 4516

[イベント言語] JPN

[イベント名] 2025 年度 IR ミーティング

[日程] 2026 年 3 月 2 日

[登壇者] 5 名

代表取締役社長	中井 亨 (以下、中井)
取締役 経営企画・サステナビリティ担当	枝光 平憲 (以下、枝光)
取締役 研究開発担当	桑野 敬市 (以下、桑野)
執行役員 研究開発本部 研開企画統括部長	別府 学 (以下、別府)
執行役員 経営企画部長	武智 秀泰 (以下、武智)

## 登壇

**武智**：定刻となりましたので、IR ミーティングを開催させていただきます。

R&D 説明会に引き続きまして、登壇者は、代表取締役社長の中井、取締役研究開発担当の桑野、取締役経営企画・サステナビリティ担当の枝光の3名です。どうぞよろしくお願いいたします。

それでは中井さん、よろしくお願いいたします。

**中井**：日本新薬、社長の中井亨でございます。R&D 説明会に引き続きご参加いただき、誠にありがとうございます。ここからは皆様のより深い対話の機会として、IR ミーティングを開催させていただきます。

はじめに、当社の今年度の主な成果と新製品の上市予定を簡単にご説明し、その後に、皆様とのQ&Aに移らせていただきます。よろしくお願いいたします。

### 2025年度 これまでの成果

2025年度	
4月	NS-229 米国におけるオーファンドラッグ指定
6月	米ボストン小児病院との、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契約
9月	NS-229 米国におけるファストトラック指定 NS-051/NCNP-04 米国におけるオーファンドラッグ指定 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慢性リンパ性白血病に対する適応追加承認を取得
11月	NS-421/C21 日本における希少疾病用医薬品指定 ガザイバ 未治療の慢性リンパ性白血病に対してベネトクラスとの併用可能に
12月	エルゾンリス 製造販売承認取得 オプスミット Johnson & Johnsonによる小児の肺動脈性肺高血圧症に対する承認取得 FRONTEO社と、AI技術を活用した標的探索に関する共創プロジェクトを開始

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.  
3

スライド3ページをご覧ください。こちらのスライドでは、今年度のこれまでの成果についてお示ししています。

昨年9月に、ジャイパーカが、他のBTK阻害剤に抵抗性または不耐容の再発または難治性の慢性リンパ性白血病に対する適応追加承認を取得しました。

また11月にガザイバが、未治療の慢性リンパ性白血病に対して、ベネトクラクスとの併用が可能となりました。

オプスミットにつきましては、Johnson & Johnson 社による小児の肺動脈性肺高血圧症に対する承認取得があり、現在発売を準備しております。

このように複数の製品で適応拡大など、新たな治療選択肢の提供に繋がる進展、成果がございまして、製品価値の最大化に向けた取り組みが着実に進んでおります。

そのほか開発品においても、オーファンドラッグ、希少疾病用医薬品などの各種指定を米国および日本で受けることができいております。

先ほど桑野より説明させていただきましたオープンイノベーションについては、6月にボストン小児病院との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契約を締結したことに加えまして、12月には、FRONTEO社とAI技術を活用した標的探索に関する共創プロジェクトを開始しております。

## 2024年度～2028年度の第七次5か年中期経営計画 ～For Global Growth Beyond the Cliff～

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 EPS 341円	営業利益 300億円 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 人材が活躍できる 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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 4

スライド4ページをご覧ください。

昨年度より始めました第7次5か年中期経営計画では、2035年のありたい姿である、「京都のグローバルヘルスケアカンパニーとして、一人ひとりの新しい生きるを世界に届ける会社」の実現に向けまして、三つの重点テーマと五つの経営基盤の強化を推進しております。

三つの重点テーマの一つとして、継続的なパイプラインの拡充を掲げております。本中計期間において、年平均2品目以上の新製品の発売を目指しております。

## 新製品の上市目標

2025年5月8日開示  
「2024年度 決算説明会」p.16より改変

### 年平均2品目以上の新製品の発売を目指す

1. 適応追加
2. 品目の新規追加
3. 上市の繰り下げ

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 (タグラキソフス) : BPDCN	GA101 (ガザイバ) : 小児特発性ネフローゼ症候群	ZX008 (フィンテフラ) : CDKL5遺伝子欠損症	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) : DMD	NS-035 : FCMD <sup>2</sup>	NS-050/NCNP-03 : DMD
	LY3527727 (ジャイパーカ) : r/r MCL	LY3527727 (ジャイパーカ) : r/r CLL <sup>1</sup>		GA101 (ガザイバ) : ループス腎炎			NS-304 (セレキシバグ) : ASO
	NS-304 (ウフトラビ) : 小児PAH				GA101 (ガザイバ) : 腎症を伴わないSLE <sup>3</sup>		
海外			CAP-1002 (deramiocel) (米) : DMD心筋症 <sup>3</sup>	NS-089/NCNP-02 (プロギジルセン) (米) : DMD		NS-050/NCNP-03 (米) : DMD	
						ATSN-101 (米) : LCA1 <sup>3</sup>	

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)。  
△コ多糖症治療剤 RGX-111およびRGX-121は2026年1月にFDAより臨床試験の実施保留命令 (クリニカル・ホールド) を受けたため、上市時期未定。

AML: 急性骨髄性白血病、r/r MCL: 他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性の慢性リンパ性白血病、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、r/r CLL: 他のBTK阻害剤に抵抗性又は不耐容の再発又は難治性の慢性リンパ性白血病、DMD: デュシェンヌ型筋ジストロフィー、SLE: 全身性エリテマトーデス、FCMD: 福山型筋ジストロフィー、LCA1: GUCY2D遺伝子変異型レーバー先天性黒内障、ASO: 閉塞性動脈硬化症

5

スライド 5 ページをご覧ください。こちらは新製品の上市予定を年度別にお示ししております。

細胞治療薬である CAP-1002 (deramiocel) については、先日、カプリコール社が FDA に CSR を提出し、来年度中の米国での発売を見込んでおります。引き続き、当社の米国子会社である NS Pharma にて販売準備を続けております。

先月、リジェネクスバイオ社が Complete Response Letter を受領した RGX-121 等、発売時期が当初の予定より遅れている品目もございますが、一昨年 5 月の第 7 次中計の発表時にお示したとおり、年平均 2 品目以上の新製品の発売を引き続き目指しております。

以上で、私からの説明を終わらせていただきます。この後は Q&A セッションに移らせていただきます。限られた時間ではありますが、皆様との有意義なディスカッションの場となれば幸いです。何卒よろしくお願いいたします。

## 質疑応答

---

**武智 [M]**：これより Q&A セッションを開始いたします。

橋口さん、よろしくお願いします。

**橋口 [Q]**：大和証券の橋口と申します。

中計をご発表されたときと、やはり deramiocel の状況が二転三転して、それが見通しに少なからず影響してきたし、今もしているのかなと思います。改めて現在の状況からした場合に、中計の想定と比べてタイミングはほぼ同じになったのかなと思うんですけども、試験から得られているデータ、適応症、それから外部環境の変化なども踏まえて、現状、中計で想定していたものと比べて売上が上にいきそうなのか、ほぼほぼ同じなのか。そのあたり、まず全体感、特に deramiocel の変化についてどう見ているのか、お教えいただけませんかでしょうか。

**中井 [A]**：中計の開示、2024 年度の前にお示ししたのものから、現在でどのように変わっているのか。我々としては、実際に deramiocel（CAP-1002）のポテンシャルについて、中計を開始したときよりは上に考えております。

その理由としては、やはり使われるであろう患者さんの数が、中計発表時点よりは多いのではないかと考えられること。それともう一つ、価格の面です。当初中計をご案内したときは、上肢機能の維持・改善というような想定で保険者に対してペイヤー調査、どれぐらいの価格であれば償還するのかというようなところを確認した上での数字のご案内でございましたけれども、やはり心筋症の適応が取れるとなると、もう少し高くても保険者は償還に前向きだというような結果も分かっています。

数量掛ける価格という点からは、売上に対しての貢献は中計発表時点よりも現時点のほうが高いと考えられます。

**橋口 [Q]**：価格については、去年の 5 月に今年度のご計画を出されたときの想定とほぼほぼ一緒で今、考えているということでしょうか。

**中井 [A]**：はい、そうですね。具体的な数字で言いますと、年間薬剤費が 1 ミリオン US ドルというような想定で、我々も今のところ考えております。

**橋口 [Q]**：もう 1 点が、先ほど NS-863 について、パートナーリングの交渉も同時並行で進めているというお話でしたが、ウプトラビを開発したときと比べれば自社でできることというのはかなり

増えている。つまりこのまま単独で開発を進めていって、よりバリューアップしてからパートナーリングというのも、十分選択肢としてはありなんじゃないかなと思います。

パートナーを求めるとすれば、どういったことを必要として、どういったことを期待して、どういった会社と組みたいとお考えなのか。

あと、今の交渉の状況からすれば、早くていつぐらいに決まる可能性があるとお考えかということもお聞かせいただければと思います。

**中井 [A]**：パートナーに求める要素としましては、これだけのポテンシャルがある薬剤で、我々としても十分ブロックバスターを狙えるんじゃないかと考えている薬剤でありますので、やはり求める要素としてはグローバルでの大きな試験の開発力、プラス、グローバルでの販売力です。

我々としまして、特に販売という面で言いますと、我々は日本とアメリカでの DMD のケイパビリティしかない状況でございます。これからヨーロッパや中国はあるかもしれませんが、やはりそういった販売力という点からしますと、セレキシパグの経験を考えますと、やはり販売力を持った会社さんと組むのは、非常に大きな要素なんじゃないかなと考えております。

もう一つの質問は、タイミング。こちらは、我々、やはり自社でものを持っているのは、パートナーと話をするとき強い、ライセンサーのほうがやっぱり強いと思います。

やはり我々としまして、これまでご案内しているように、deramiocecel (CAP-1002) が無事ローンチして、すごく成長が加速できるような段階になりましたら、成長投資ということで、研究開発にももっとリソースを配分できると考えておりますので、できるだけバリューアップした形で相手さんと組んでいくほうが、将来の日本新薬の収益貢献という面からしますと、よりそうすべきだと思っております。

とは言いながら、こういった経営、何が起こるかわかりませんので、やはりこのタイミングで、この NS-863 を各社さんに少し紹介をしながら、そういった企業の中での、このものの評価などを今、行っておりまして。幸い興味を示している会社さんもあるということで、結局それをこの段階ではやっぱり出すのはやめて、フェーズ 2 は自分達でやりますとか、いろいろ選択肢はあるかと思えますけれども、やはり同時進行で自分達で開発しながら、併せてそういったパートナーリングの機会も模索しているのが今の状況でございます。

**橋口 [Q]**：グローバルという観点では、フェーズ 3 からでも遅くないような気がしますし、今の中井さんのバリューアップという話で言えば、どちらかと言えばフェーズ 2 はこのまま自社単独の可能性のほうが高そうという理解でいいのでしょうか。

**中井 [A]**：そうですね、まさに走り出そうとしておりますので、オペレーションの部分は我々ができる自信があって、あとは途中で資金、開発費を応分に負担するとか、そういうところに入って来る可能性も捨ててはおりませんけれども、そこは柔軟に対応できるのではないかなと思っています。

**武智 [M]**：若尾さん、よろしくお願いします。

**若尾 [Q]**：JP モルガンの若尾です。

一つ目が、米国のビルテプソに関するアップデートがあれば、教えていただきたいです。

**中井 [M]**：FDA との話し合いのステータスということですよ、ご質問は。

**桑野 [A]**：前回決算でお伝えしましたが、昨年 12 月 23 日にはお返事がなくて、その後、連絡を取ったら、まだ審査中なので待ってくださいということでした。そこからのアップデートはございません。

**若尾 [Q]**：御社は、FDA と一度はディスカッションしているんですけど、今回の件で。最初にこのフェーズ 3 のデータはこうなりましたというところで、一度ミーティングを持ったと認識しておいてよいですか。

何でもかという、サレプタが、このクォーターの後に FDA とディスカッションを持つよ、みたいなことを言っていて、割と向こうは早く進んじゃいそうな気がするんです。割と御社は時間がかかっているの、この差は何なんだろうなというのが気になっていて。そもそも御社は FDA とディスカッションをしたのかどうなのか、知りたいです。

**中井 [A]**：昨年度の 10 月に FDA とのミーティングを持つ前提で、ブリーフィングドキュメントを FDA に提出しているんですね。その内容が 301 試験の結果、全部じゃないですよ、結果と、あとはそこに対する我々の解釈、なぜ主要評価項目にミートしなかったのかを出したんです。

それを受けて、FDA からの回答が、概ね考え方としては納得がいくものなんだけど、試験、CSR を全部出せと、データを全部出してくださいということで、今、ミーティングをするタイミングじゃないと、FDA から 2024 年 10 月のミーティングに向けて言われてまして。

その後、12 月に、CSR でいいのかな、完全なデータを出すとともに、また 303 試験についてのプロトコルも提出したんです。それでその後、回答を待っているんですけども、全く何も返ってこなくて、ようやく返ってきたのがまだレビュー中だからもう少し待てというような状況でございます。

**若尾 [Q]**：自分の認識と合っていたのでいいんですけど、結局そうすると、なぜサレプタは、どういう形のミーティングかわかりませんが、後から試験が終わって、御社よりも早く FDA とミーティングが持てるのはなぜだと解釈されてますか。

逆に御社が、どちらかというあまりプライオリティが高くないようにも見えてしまうんですが、FDA からすると。なぜこういう状況になっているか。もしくは、FDA がサレプタとミーティングを持った後に、御社のこのレビューが進む可能性とかもあたりしますか。

**桑野 [A]**：正直なこと言うと、FDA の思惑がよくわからない部分がある。ただ、我々は、フェーズ 3 試験をこういう形でやりますと申し上げている一方で、報道等から見ると、サレプタさんは、フェーズ 3 試験ではなくて、現状のデータで何とか承認を、ということをやっています。よりハードなというか、高いハードルの交渉をしようとしているのかなと。

だから、まずは FDA としては先方と話をし、その後我々とも話をした上で、双方同じような機序の薬ですので、対応に関しては同じようにするために地ならしをされているのかなと、もう完全に類推ですけれども、そういうふうには思えるところがあります。

**若尾 [Q]**：サレプタと FDA がミーティングを持つと、何か御社にも動きが出てきそうなものですか。

**桑野 [A]**：これは、もう FDA に聞かないとわからないですけれども、例えば既存のデータで承認可能だというのであれば、我々も、P3 試験をそのまま進めるよりは同じようなアプローチができるようになるかもしれないですし、やはり P3 試験がいるということであれば、サレプタさんもそれをしないといけないことになるでしょうし。

そのあたり、同じような状況にあるのに全く違う対応になるというのは、合理性を欠くと思うんですよね。そのあたりのことを横目で見ながら、FDA としては色々考えているんじゃないかなと思います。

ただ、我々ではなくて彼らがミーティングをもし持てるとすれば、私としても不思議に思っていますし、本当なのかなというような気もしています。

**若尾 [Q]**：FDA がサレプタにトラディショナルアプルーバルを評価したならば、御社もフェーズ 3 なしで承認されるだろうと思っているんですか。そうだとするならば、それはなぜですか。それはデータの質が割と近いからとか、そういうことですか。

**桑野 [A]**：いえ、向こうがそうならば我々も自動的にそうなるとは全く思ってません。

それは、やはり先方の置かれている状況と我々の状況が、どこまで類似しているのかというあたりもしっかり見た上で、交渉が必要なら交渉していきましますし、フェーズ3試験が必要ならフェーズ3試験を予定どおり行う、そういうことかなと思います。

**若尾 [Q]**：少なくとも、サレプタにフェーズ3が要求されずアプルーバルを得たならば、御社としては一応シナリオとして、フェーズ3をやらないことも検討していく可能性がある、くらいで思っておけばよろしいですか。

**桑野 [A]**：はい、当然そう考えています。

**武智 [M]**：田中さん、よろしくお願ひします。

**田中 [Q]**：みずほ証券の田中です。

核酸のところ、先ほどボストン小児病院のお話はありましたけれども、もちろん御社、低分子でも、遺伝子治療でも、できるとは思うんですけど、やっぱり御社の強みは、外から見てると核酸ができる、日本の中ではできる会社だとは思うので。

ただ、なかなか長年 DDS がうまくできなくて、ペプチドも難しいとなって、さっきトランスフェリンはというお話はありましたけど今、創薬のところ核酸のプライオリティが下がっているように、外からそう見る人もいる。今、そこをもうちょっとアップデートしていただけないか。

あと、最近特許とか見ると、電位を変えるようなことを特許申請されていたりとかして、単なる DDS ではなくて、そういう申請もされているみたいですけど、動いてはいるんですか。

**桑野 [A]**：核酸研究のポテンシャルが下がっているんじゃないかというご指摘ですけれども、なかなかうまくいかない部分が出ていますので、そういうふうにお見えかもしれないですけど、社内では全く、その辺のスタンスは変わってありませんで、コツコツ基礎の研究は続けております。

ご指摘のとおり、なかなか DDS が、自社のこれだという DDS がつかめていませんが、そこも遅まきながら、本格的にやろうとしております。そういうものが一つでも使えるものがあれば、どんどん既存の配列に応用して組み合わせ、新しい開発品目を生み出していきたいなとは思っています。もう少しお待ちいただけたらと思います。

**田中 [Q]**：確か12月ぐらいに何かWIPOにポリアニオンのPMO複合体みたいなのが出ていたの、何か動きがあったかなと思ったんですけど、まだちょっと時間がかかる。

**桑野 [A]**：はい、もう少しお待ちください。

**田中 [Q]**：あと、さっきの FDA 対応のところ、先ほどおっしゃられた MD を持っている方というのは、実際動いておられるんですか。どういう人なのか、もう少し説明していただけると助かります。

**桑野 [A]**：経歴とかバックグラウンドに関しては、先ほど社長から説明があったとおりです。実際 FDA 対応はレギュラトリーでも、キャリア採用で入った方と、MD 資格を持っている方、それと既存の臨床開発の人間、このあたりが皆さん協力しながら、従来とは違う形というか、より突っ込んだ形で、FDA 対応には乗り出しています。

ただ、先ほどのビルテプソに関しては、そういう体制で臨んでいても、なおかつ、なかなかお返事がないような状況でして、何も変わってないじゃないかとお見えかもしれませんが、内部的にはかなり洗練されつつあるかなと考えています。

**武智 [M]**：山口さん、よろしくお願いします。

**山口 [Q]**：シティの山口です。

さっきの R&D で出てきたセレキシパグの ASO のところ、あれは特許切れが終わってから出てくるわけですが、当然、特許は残っているんだけど、あそこはあそこでまた新しい適応症として大型化を狙っているという理解でよろしいのでしょうか。

あと、国内だけですかね、これ。

**桑野 [A]**：はい、当然、大型になればいいなと思ってますし、開発テリトリーは国内だけです。

**山口 [Q]**：ASO って昔から色んな薬ちょこちょこあるけど、そこそこ国内で大きくなっているの、その辺はいけるかな、ということだからこそ開発されているわけですね。

**桑野 [A]**：はい、実はお恥ずかしい話、随分前から、それこそ肺高血圧症より前から意図してやってたんですけども、なかなか臨床評価が難しい領域でして、我々としても悪戦苦闘をしながら、ようやく道筋を見いだしたと。P2 試験も複数回やってますし、その中でこうやればもう P3 試験もうまくいくところまで漕ぎつきましたので、何とかあと一つ試験、再現性を取って仕上げたいと思っています。

**山口 [Q]**：あと NS-863 についても、今日いっぱい開示がありました。元々おやりになっているということで、この領域はかなり蓄積があると思う。その立場からしてもグローバルの状況もよくご存知だと思うんですが、他の領域を除いて、今回初めて適応症が明らかになりましたけど、これはいけそうか、というのは変な言い方ですけど、桑野さんとしては結構、自信ありますか。

**桑野 [A]**：そうですね、実はこの品目も私、研究の、探索研究をやっている段階から、起案にも携わっておりますし、その中から一緒に育ててきたものですので思い入れもありますし、もちろん先ほど申しましたように PoC のあるところですので、勝ち目は十分あるのかなと思っています。お家芸でもありますし、ぜひ仕上げたいなと思っています。

**山口 [Q]**：あと基本的なことの確認で、さっき deramiocel、CSR を出したということでしたけど一応、PDUFA とかってまだ決まってないんですけど、決まりましたっけ。

**中井 [A]**：2月のどこかのタイミングでカプリコール社から FDA に CSR を出しました。CSR を受け取って、FDA からアクセプタンスの連絡が来るまでに数週かかるということで、その FDA からアクセプタンスと併せて、PDUFA が多分、この日に設定するというような連絡が来るだろうということで、今そこが、FDA に今ボールがあるというようなアズ・オブ・トゥデイの状況です。

**山口 [Q]**：ということは、前は2月に来るかなとおっしゃっていたやつが、2月ではなくて3月中には来るかなという、数週間ですから。ということで、そこまでいくと、PDUFA が決まるので、いろんな意味でのリリースの対象になるんですね。

**中井 [A]**：そうですね、3月に FDA から PDUFA の連絡が来たら、大体そこから審査のクロックが動きますので、6カ月と考えると、3月足す6で、9月ぐらいが PDUFA の日にちになるのかなと我々は今、想定しています。

**山口 [Q]**：あと、この中計の上市目標の中には当然まだ NS-863 入ってないんですけど、フェーズ2が終わるところで2028年だから入らないんですけど、これもうちちょっと伸ばすと入るようなスケジュール感になりますかね。2030は無理だけど、2031とか、2032ぐらいだったら出ますかね。

**中井 [A]**：そうですね、次期中計ってまだ何年なのというところもあるんですけど、仮に5年とすれば、次の中計には NS-863 が世に出てくるように開発をしていきたいと考えています。

**武智 [M]**：李さん、お願いします。

**李 [Q]**：モルガン・スタンレーの李です。

この CAP-1002 のところでお伺いしたいんですが、カプリコール社の買収は現時点でどういうふうに考えられているのか。

例えば従来からカルチャーなどが合う、そういったことも中井さんが言及されてきていて、年末のフェーズ3のデータだけ見ると、非常にポテンシャルは大きそうなので、今からでもリターンはかなりあるのかなとは思っている。一方で、キャピタルアロケーションで1,000億円という話もあっ

て、兼ね合いが難しいと思うんですが、ポテンシャルが大きいのでそこは勝負に出てもいいのかなとは思っているんですが、この辺りどう考えられてますでしょうか。

**中井 [A]**：特にこの場でそういった具体的な話はできないんですけれども、常にカプリコール社とは、この deramiocel をどのようにして世界で最大化していくか、あとは適応拡大であったり、製造面であったり、そういうところは話し合ってはおります。

ですので買収に限らず、いかにしてこのものを大きくしていく、それで両社でどのような役割が果たせ得るのかを確認しながら、然るべく提携の形が見えてくるんじゃないかなと考えているということです。

**李 [Q]**：フォローアップで。先方はまずアメリカをしっかりと頑張るとおっしゃってますけど、ヨーロッパのところ、これやるとなると、御社が販売するオプション権をまだ保有されていると思うんですが、これ最初からヨーロッパの会社を立ち上げる予定なのか。もしくは、M&A などが一つのオプションになってくるのか。もちろんまずアメリカというのは重々理解しているんですが、3~4年後の話を考えたくて、お願いします。

**中井 [A]**：当初、アメリカで無事ローンチまで漕ぎつけられれば、日本、ヨーロッパへの展開を前向きに進めていきたいと両社では確認しておりましたけれども、やはりこちらもまたアメリカ特有のリスクじゃないですけれども、価格、最恵国待遇の話なども出てきまして。

そちらをヨーロッパで上市させてしまうことが、アメリカの価格にどのように影響を与えるのか、それを我々、両社ともに少しきちんと慎重に調べなきゃならない、というような事項が出てきております。そういうところも、変に突っ走ってしまうと、deramiocel のグローバルでの価値を損ないかねないところも注意しながら、両社で調べて、確認しているところでございます。

今、ヨーロッパのステータスは、独占交渉権を当社が持っているということで、ヨーロッパでの権利については、うちとしか今、話ができないステータスですので、それが絶対やらなければならないというわけでもないですし、というような状況でございます。

**李 [Q]**：最後に、テクニカルな話で非常に恐縮ですけれども、御社、今 IFRS を導入されていて、例えば他社のようなコア OP、こういった定義を導入する考えはあるのか。

例えばこの CAP-1002 が認可されたら、それこそ償却費なども始まって今の PL に多分そのままヒットしてくると思うんで、それを除くような形でコア OP があれば非常にわかりやすいのかなと思ったりしたんですけど、このあたりどういうふうに考えているか教えてください。

**中井 [A]**：そのあたりについても、どういうふうな方針を取ればいいのかという点については、枝光とともにディスカッションはしております。そういった、例えばコア営業利益を導入しますという点がご案内できるタイミングがあれば、そちらの方はなるべくタイミングでやっていきたいと思いますが、今、もうそれを導入しますというところは決まってはいる状況でございます。

**李 [Q]**：確認ですけど、償却費というのは販管費ではなくて、原価に計上されるという理解でよろしいですか。

**枝光 [A]**：その通りです。

**武智 [M]**：和田さん、よろしくお願いします。

**和田 [Q]**：SMBC 日興証券、和田です。

私は、CAP-1002 のところの最初の橋口さんのご質問の回答で、適応患者は広がるんじゃないかというお話をされたんですけども、データを見たときの HOPE-2 と HOPE-3 の差を見ると少し弱まっているようにも、有意差は十分ついているということになっているんですけど、弱まっているように見える。その背景を踏まえての理由をどうお考えになっているか、まず一つお伺いしたい。

あと、それを踏まえた上で適応患者数がどう影響を与えそうか。今、どうお考えになっているかをお伺いできますでしょうか。

**桑野 [A]**：数字だけ見ると、見かけ上、仰るような部分もあるかもしれないですけども、いかんせん HOPE-2 は少数例、20 例程度の試験ですし、HOPE-3 はその 5 倍以上の症例ですので、そのあたり、本当のところが見えてきたというような見方もあるのかと思います。

ただ、そこで有効性の絶対値がどうであれ、しっかり有意差を持って効いていることが全てなのかと思いますので、その部分は問題ないんじゃないかなと思います。

**和田 [Q]**：あとはビルテプソとの、PUL2.0 だったと思うんですけど、論文データがあるのでそれとの比較でいくと、ビルテプソは結構疾患進行を止めているような感じになっているんですけど、CAP-1002 はやっぱり進行しているように見えるんですが、この差分をどうお考えになっているか。

あと仮説として持っているのは、重症度が違うことによって CAP-1002 の試験の時には進行しているように見える、ということなのかと思っているんですけど、そのあたりのお考え、背景をお伺いできますでしょうか。

**桑野 [A]**：はい、仰るように、患者背景が違うであるとかは影響していると思いますし、心筋症まで併発していることを考えると、なかなかビルテプソに比べて効きにくい状態というのは、ご指摘の通りかなと思います。

**和田 [Q]**：最後、アドコムがあるかどうか。CAP-1002 は基本的には PDUFA の前にアドコムがあるとお考えになっているかどうか、お伺いできますでしょうか。

**中井 [A]**：アドコムを開催するつもりかどうかというのは、例えばまたレビューのクロックが進み始めてから、ミッドサイクルミーティングであったり、レイトサイクルミーティングであったり、そういうタイミングで FDA からのサジェスションがありますので、まだクロックが動いてない状況について、アドコムがある、ないというのはわからないということでございます。

**武智 [M]**：酒井さん。

**酒井 [Q]**：UBS の酒井です。

今回紹介されたこのボストン小児病院との提携ですが、半年経過して今回このような形でご紹介されたということは、具体的なプロジェクトがこれから進みそうなかどうか。その際のスキームですけれども、これどういう形で、公募みたいな形になると思うんですが、御社がいわゆるキャッシュアウトして興味のある方を呼び込んでいくのか。

または当然、これはもう患者さんがいるわけですから、病院に。そういった方たちから何かしらの、例えば生検という言い方がいいか悪いかわかりませんが、そういったものを色々使いながら研究をしていくことも視野に、将来入っているのかどうか。この辺含めてご紹介いただくことは可能でしょうか。

**桑野 [A]**：実は近々、こういうふうにしますということがご報告できるのかなと思います。今まだ契約の詰め段階ですので詳細までは言えませんが、ご指摘されたような公募は実はもう行っておりまして、絞り込みも済んでいます。具体的にここの先生方とこれから共同研究していこうかなというのは、あとは契約を詰める段階まで来ています。

当然病院ですので、ご指摘のように患者検体を使って研究できることを期待していますし、研究が進展していけばさらにその後の展開も、また新たに考えていきたいと考えています。

**酒井 [Q]**：そうすると、パートナーという言い方がいいか悪いかわかりませんが、これはあくまでも病院に勤務するドクターということでしょうか。

**桑野 [A]**：そうですね、ドクターですし、研究室のようなものをお持ちで、その部分と一緒に研究していくということですね。

**武智 [M]**：山木田さん、よろしくお願いします。

**山木田 [Q]**：ジェフリーズ証券の山木田でございます。

私から1点、コストのところをお伺いさせていただきます。もちろんCAP-1002 (deramiocel) とかが順調に売れていけば、全くコストの水準というのは心配する必要はないのかなとは理解しているんですけども、やっぱりワーストケースも考えなければいけない前提のもとで。

来期からかなりフェーズ2もいくつか始まるようですし、あと deramiocel のコマーシャル機能のところも既に積み増しているものもあり、来期から積み増すものもあり、となると、販管費と研究開発費合計して900億円ぐらいかかってくる。かつ、あんまり減らせるものがないんじゃないかなというのを懸念している。このコストがかさんでくるところのお考えを今一度、お教えいただきたい。

あともう一つ、R&D 費は、桑野様に代わってから何かパイプラインの取捨選択のところ、ここのスタンスが変わったのかどうか。こういった視点でもコストのところをご解説いただいてもよろしいでしょうか。

**中井 [A]**：まず今回、特にCAP-1002が無事に9月頃に承認が取得できるであろう前提の中で、次年度の予算も検討し始めております。大体のイメージとしましたら、もちろん我々が考えているとおりの前提で進めば、次年度はやはりまた利益面でも成長基調に戻れるようなイメージで考えてはおります。

そういった中で、本日ご紹介したようなNS-863、NS-035、NS-304のASO、こういった開発もスタートするような前提の中、またビルテプソのフェーズ3をもう1回やるような前提で組んだとしましても、利益ベースでも成長できるのではないかというふうな感触は得ております。

ご質問は、どちらかという、悲観的な状況になったときにはどうするんだ、というようなことでございますけれども、それこそCAP-1002がうまくいかなかったとか、先延ばしになったとか、いうときはアメリカの、それこそ販管費などには手を入れていく必要があるとは認識をしております。

あとは、大きな研究開発費が必要な開発品、例えば先ほどもNS-863は導出はどうなんですかというような話もありましたけれども、本当にそういう自社でやりきれない研開費がひねり出せないことになれば、そういったアセットも、パートナーとやることでコストコントロールはできるのではないかと考えております。

桑野に R&D のヘッドが代わって、プライオリティが変わったんじゃないですか、ということにつきましては、それこそ今、エクソンスキッピング薬、44 スキッピングの NS-089 などは、Avidity の状況などによっては、われわれとしても、この開発をどうするのかとか、NS-051 も現在 FDA からクリニカル・ホールドされてますけれども、こちらにつきましても 51 スキッピングの世界では競争力があるのかどうか、そういった点を個別に競合関係、また当局との交渉状況などを考慮に入れて、それぞれの品目の優先度をつけて、きちんと利益を出せるような会社として、継続していきたいと考えているところでございます。

抽象的な回答となりましたけれども、以上でございます。

**山木田 [M]**：ワーストケースの話になってしまって恐縮ですけども、しっかりそれでも利益を出していかれるということで理解しました。

**武智 [M]**：村岡さん、よろしく申し上げます。

**村岡 [Q]**：モルガン・スタンレー、村岡です。よろしく申し上げます。

DMD の日本での戦略の話で、何がお聞きしたいかという、ここ最近、御社ではない、ほかの会社さんが日本の DMD の、そういう薬を結構獲得されて、またそれが市場性あるかのようなお話を仰るんですが、ここが僕ピンと、腹落ちが悪くて。

日本で DMD、しかもエクソンスキッピングと競合しないモード・オブ・アクションならば、真っ先に御社に、皆さん相談に行くはずだと。でも御社ではなく、ほかの会社さんが結局やられているのは、御社として競合の関係にあるからそういうのに手を挙げなかったのか。いやいや、全然シナジー生まれないから興味なかったのか。多分、御社に話がいったはずだという大前提で聞いてちゃっているんですけども、そのあたり、何かコメントできるものはありますでしょうか。

**中井 [A]**：なかなか、そういう表に出ていない情報について、コメントできるような場ではないところはご容赦いただきながら。

やはり DMD という疾患領域の中、また日本というマーケットで、他社さんの方に契約が行った品目が 2 品目ぐらいあるんでしょうかね。結構すごいポテンシャルがあるような前提での、経済条件なんだなというような感じは印象としてはあります。そこはどのように考えるのかは、やはり各社さんの経営判断だと思います。

われわれとしては、できるだけ自分たちが獲得するアセットは、どの領域、どの国、どのモダリティ、どのステージを考える中で、相手がありますので、そこは話をしてみないとわかりませんけれど

も、より違う、例えばアメリカのほうのアセット獲得を優先して活動をしているような背景で、日本の DMD では、特にそこまで躍起になって獲得していなくてもいいでしょうし。

DMD だけで品目、当社が独占的に揃えてしまうと、いわば競争の面から独禁法的な話も気にしなければならなくなってくるので、そういう市場独占を 1 社でしてしまうような環境には、あまりわれわれも身を置けないような、法的な面もあることもご理解いただければと思います。

**村岡 [Q]**：あと、deramiocel の話で、先ほどカプリコール社とは、いろいろコミュニケーションは密にしていますよ、みたいなお話のコメントの中に、製造も含めて、いろいろコミュニケーションしているんですよとおっしゃっていて、うんうんというのが。ですが、外から見て、見えないところで、やっぱり去年の CRL のときの、急に CMC イシューみたいな話が出てきて、それは片付いたんだよ、みたいなニュアンスはあるんですけども、正直、ブラックボックスで、外から見えにくくて。

御社から見る限りは、もうこの CMC の問題は解決済みで、そこは気にする必要はないと、御社もそう見ていると思ってよろしいのでしょうか。

**中井 [A]**：はい、われわれが見えている範囲といいますか、実際にサンディエゴの製造サイトを当局が査察に来て、何個か宿題をもらってというようなところで、CRL の中はそこで止まっているんですけども、その後、カプリコールが対応することで、FDA はもう納得はしたというようなところまでは、カプリコールからも、直接われわれも報告を受けておりますし、われわれのいわば品質保証のチームなどもサンディエゴに赴いて、専門部署同士のコミュニケーションは取っていますので。

そのあたり、われわれも承認されないリスクをできるだけ消すために、そういう品質面とか CMC は、もちろん逐一確認しながら、審査の状況を見守っている状況でございますので、われわれとしても、そこら辺はきちんと見ているとご理解いただければと思います。

**武智 [M]**：若尾さん。

**若尾 [Q]**：1 個だけ確認させていただきたい。カプリコールが、3 月の学会でディテールを発表されると思うんですけども、HOPE-3 の、これに関して注目しておくべき点があれば教えていただけますか。トプラインは出ているので、細かい数字とかが出てくるのみで、何かそれを見ることで、CAP-1002 (deramiocel) の見方がさらに上に行くとか、場合によっては下に行くとか、そういうこともないのかなとは思いますが、何かあれば教えてください。

**桑野 [A]**：われわれもその発表、ズバリのデータを見てるわけではないですけども、トップラインで出していることがエッセンスだと思いますし、それを補強するよういろいろなデータを、さらに詳細にご報告されるんだろうと思います。いずれにしても注目はしていただきたらと思っています。

**武智 [M]**：ご質問がないようですので、Q&A セッションを終了いたします。

以上をもちまして、IR ミーティングを終了いたします。本日は長時間にわたりご参加いただきまして、誠にありがとうございました。それでは失礼いたします。