

2025年度 R&D説明会

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

2026年3月2日

日本新薬が目指す創薬

- ・難病・希少疾患に対し、**低分子・核酸・遺伝子治療**から最適なモダリティを自在に選択
 - ・難病・希少疾患には遺伝性疾患が多く、**病因遺伝子に作用**し得る
- これら3つのモダリティでアプローチ
- ・研究テーマの主要な構成要素である、**疾患、作用機序**および**モダリティの組み合わせ**で
独自性の高い戦略を実行し、差別化を図る

注力領域

日本新薬の注力領域



血液内科



難病・希少疾患



泌尿器科



婦人科



ジヤイパーカ®
【r/r-MCL】
【r/r-CLL】
2025年



ウプトラビ®
【PAH】2016年
【CTEPH】2021年
【小児PAH】2025年

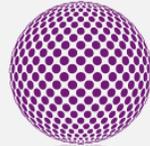


ア-リーダ®
【前立腺癌】
2019年



モノヴァー®
【鉄欠乏性貧血】
2023年

主な製品
(適応症、発売年)



ビキセオス®
【高リスクAML】
2024年



ビルテプソ®
【DMD】
2020年

主な開発品

NS-401
LY3527727
など

CAP-1002
NS-863
など

NS-025

NS-580

日本新薬の難病・希少疾患注力度

開発品の85%が難病・希少疾患治療薬

- 売上1,000億円、開発品10以上の69社での難病・希少疾患比率は平均28%
- それに対して当社の比率は85%で、**国内、グローバル共に第一位**

開発品における難病・希少疾患割合

国内			
ランク	企業名	割合%	品目数
1	日本新薬	85	11
2	A社	47	20
3	B社	43	9
4	C社	38	5
5	D社	38	9

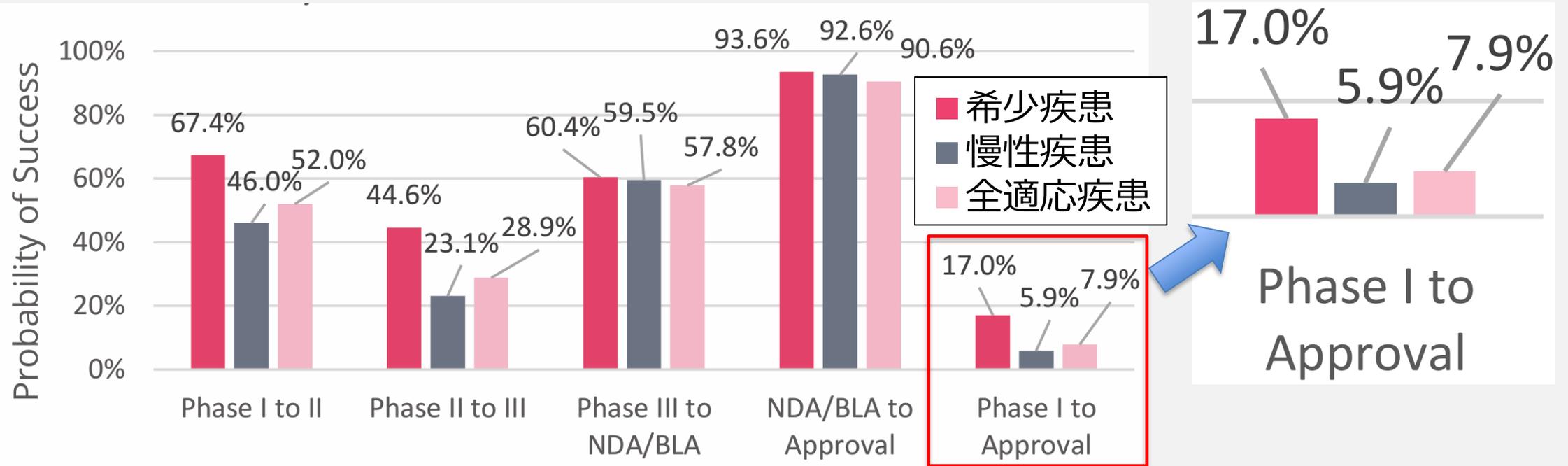
グローバル			
ランク	企業名	割合%	品目数
1	日本新薬	85	11
2	E社	70	7
3	F社	60	6
4	G社	58	14
5	H社	50	38

なぜ希少疾患領域が

希少疾患の成功確率は相対的に高い

- P1から承認に至る成功確率は慢性疾患より約3倍高い
- 要件次第では、迅速承認の可能性も

成功確率：希少疾患 vs 慢性疾患



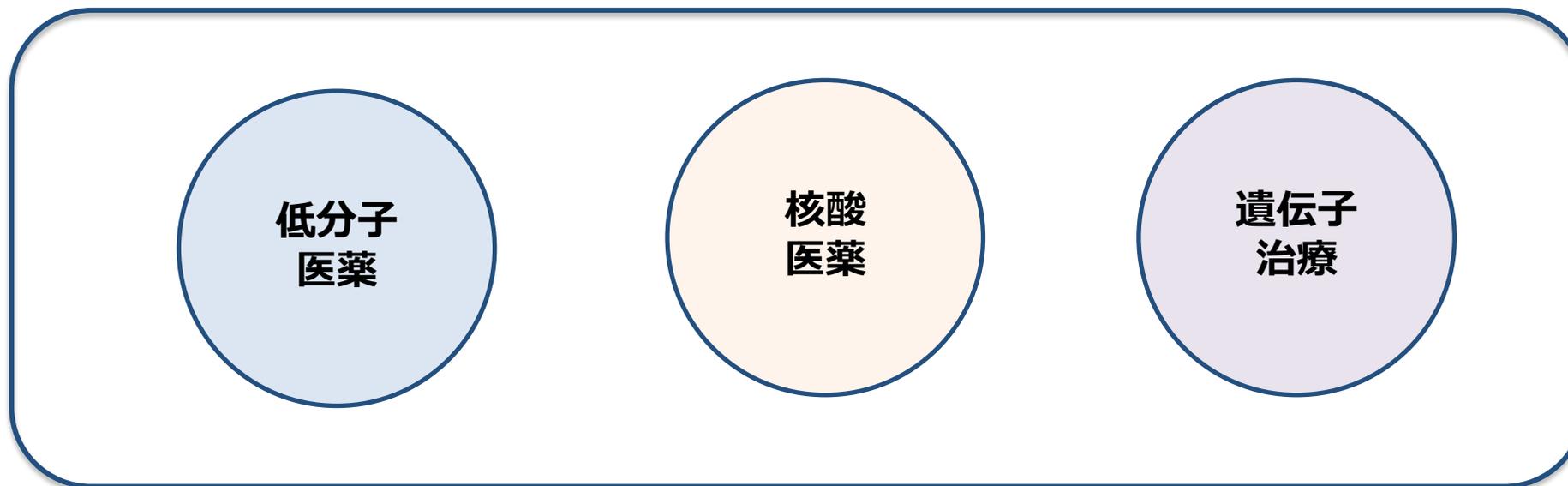
疾患領域と開発品

領域		開発パイプライン
血液		NS-401、LY3527727、NS-917
免疫		GA101、NS-229
神経・筋		ZX008、CAP-1002、NS-089、NS-035、NS-050、NS-051
肺高血圧		NS-863、NS-421
スペシヤリティ	先天代謝	RGX-121、RGX-111
	眼	ATSN-101

黒：低分子、橙：核酸、緑：遺伝子治療、青：その他

モダリティ

以下の3つのモダリティを柱として研究開発活動を展開する



日本新薬は、遺伝子に作用し得る3つのモダリティ技術を駆使する

- 病因遺伝子に最適なモダリティ選択ができる強み

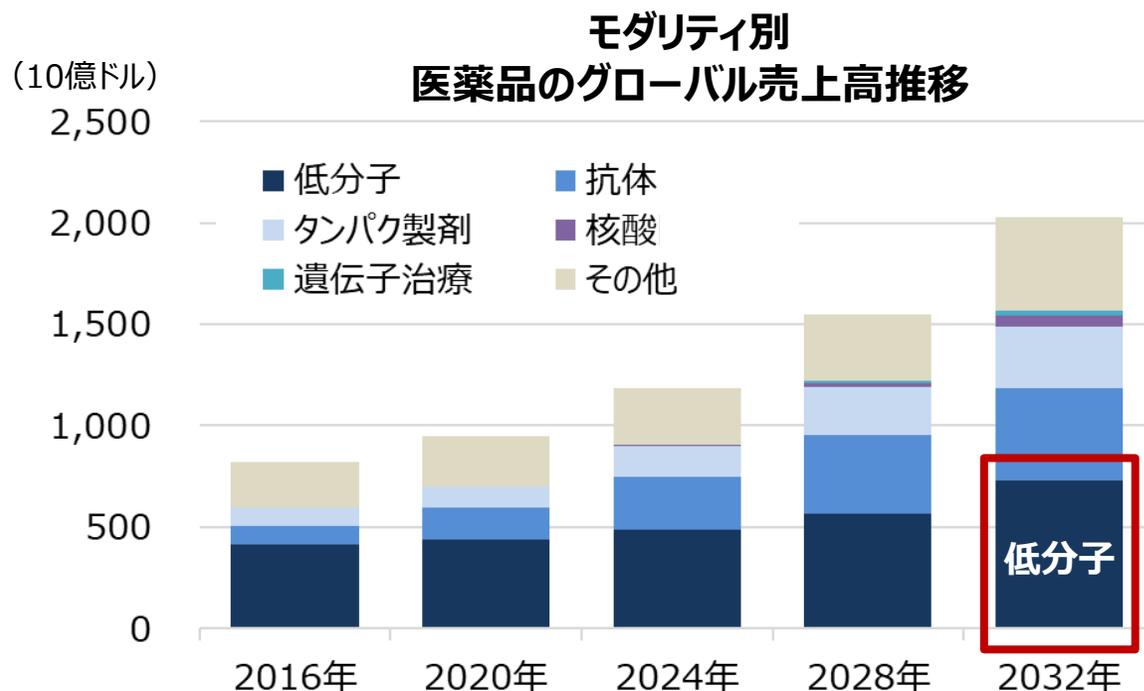
低分子：現状と戦略

現状

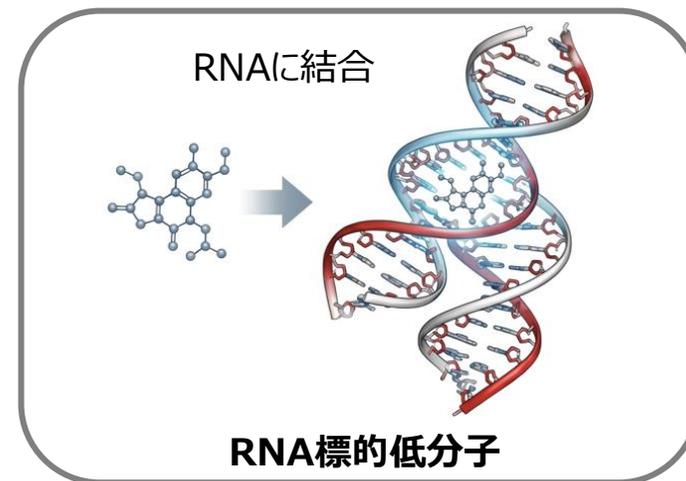
- モダリティは多様化しているが、今後もなお**低分子医薬品が創薬の中心**と予想
- 従来技術では**創薬困難な標的**でも、AIやタンパクの立体構造解析等の進歩で創薬可能に

戦略

- 低分子化合物最適化のノウハウを進化
- **RNA標的**低分子や**環状ペプチド**による難標的へのアプローチ



出所：Evaluate Pharma® 2 2026, ©Evaluate Ltdより日本新薬作成



核酸医薬品：現状と戦略

現状

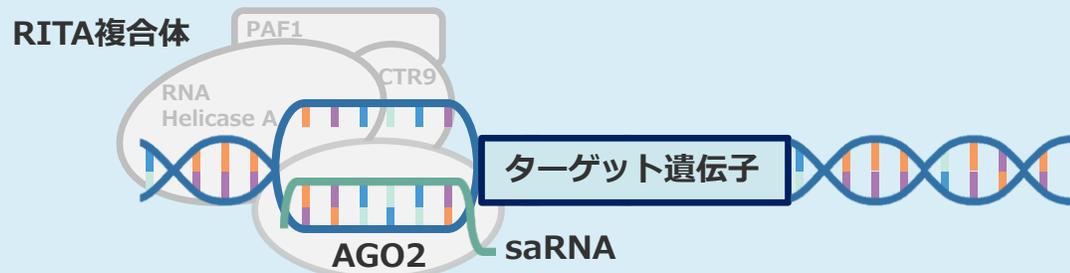
- 核酸医薬品の**特許競争は激化**しており、**自社特許確保**が重要な課題
- 組織移行性が乏しいため、治療効果は限定的

戦略

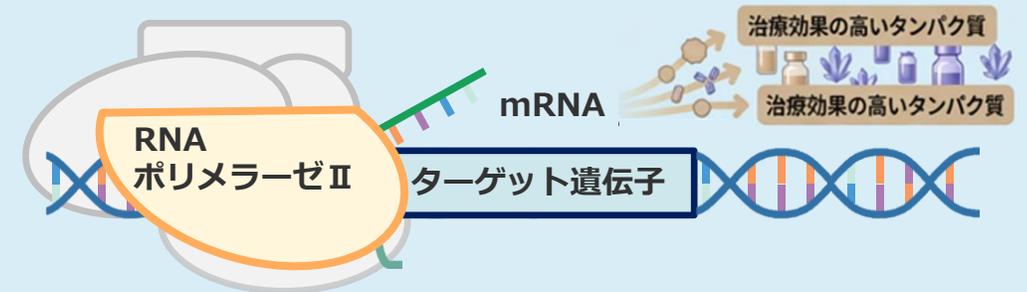
- **特許獲得の余地のある**、発現増強核酸を機能欠失性疾患に応用
- 中枢局所投与から始め、DDS技術により静脈内投与に展開

<発現増強核酸 saRNA>

STEP 1：saRNAによる遺伝子活性化複合体の形成

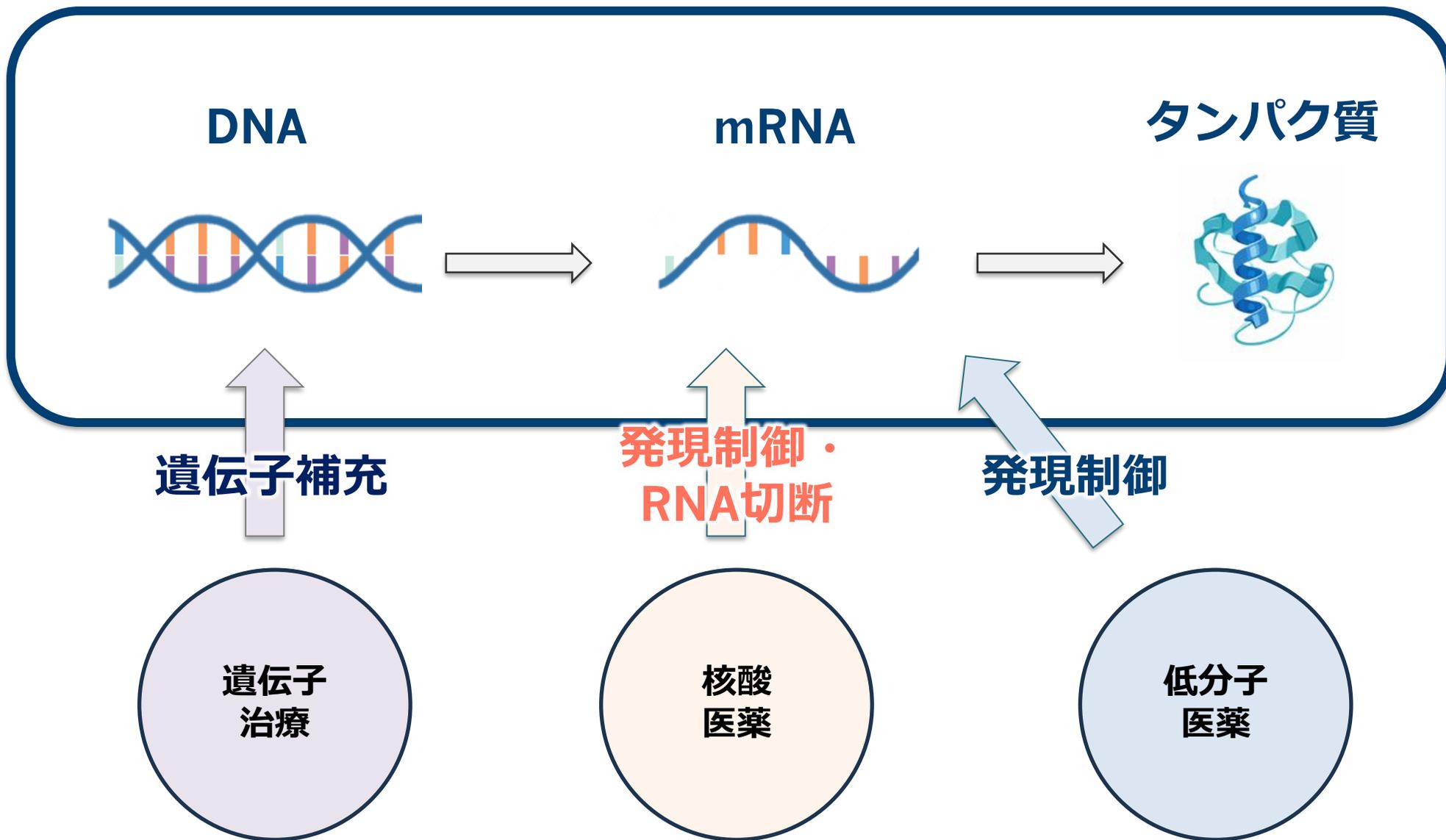


STEP 2：RNAポリメラーゼIIによる転写亢進とタンパク質産生



DDS (drug delivery system)：必要な部位に必要な薬物量を必要時間だけ作用させるような最適化を目的に設計させた投与システム
saRNA (small activating RNA)：低分子活性化RNA
RITA (RNA-induced transcriptional activation) 複合体：RNA誘導転写活性化複合体

モダリティの機序



オープンイノベーション

標的探索

- 新規病因遺伝子の探索
- AIによる疾患メカニズム解明

モダリティ技術

- 機能喪失性疾患を対象とした発現増強核酸
- 遺伝性疾患を対象としたRNA標的的低分子

シーズ導入

- 革新的治療シーズの獲得
- シーズ補填によるパイプライン強化

創薬戦略に従い、自社の強みを発揮できる分野でオープンイノベーションを推進

全米1位の小児病院

- 卓越した臨床・研究実績を誇る世界的な医療機関
- 研究者3,000名、年間論文数3,000（査読付き）

ハーバード大学医学部の関連病院

- 最先端の医学研究と教育の中心的存在

社会的インパクトのある共同研究テーマの募集

- 日本新薬は、2025年6月にBCHと戦略的提携を締結
- 希少疾患領域での長期的な提携を見据え、自社研究への波及を意識したテーマを選定



パイプライン

パイプライン (1/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	適応症	スケジュール	申請(予定) 地域	試験番号
発売 PⅢ	NS-065/NCNP-01 (ビルトラルセン)	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	日本	jRCT2080224893
				—	米国	NCT04060199
発売準備中	NS-401 (タグラキソフスフ)	導入 マリーニ社	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031220023
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコル・セラ°ユーティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	—	米国	NCT03406780 ¹
						NCT05126758 ²
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジ°エクスバ°イ社	ムコ多糖症Ⅱ型	臨床試験の実施保留中 ³ CRL受領 ⁴	米国	NCT03566043
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携 イーシービー社	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041230015
	GA101 (オビヌズマブ)	導入 中外製薬株式会社	ループス腎炎	申請予定：2026年	日本	jRCT2011210059
			小児特発性ネフローゼ症候群	申請予定：2026年	日本	NCT05627557
			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	jRCT2071230031
	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カ°リコル・セラ°ユーティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国	NCT05126758
	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	アライアンス 日本イーライリイ株式会社	マンタル細胞リンパ腫	—	日本	jRCT2021210026
慢性リンパ性白血病			—	日本	jRCT2011210061 jRCT2041210150 jRCT2021220024	
PⅢ準備中	NS-304 (セレキシパグ)	自社	閉塞性動脈硬化症	試験開始：2025年度	日本	jRCT2071250134

※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. 第Ⅱ相試験 (HOPE-2試験)

2. 第Ⅲ相試験 (HOPE-3試験)

3. 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

4. CRL(Complete Response Letter)：FDAが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、審査完了報告通知。2026年2月に受領。

パイプライン (2/2)

開発段階	開発品目 (一般名)	オリジン	適応症	スケジュール	申請 (予定) 地域	試験番号
P II	NS-580 (friluglanstat)	自社	子宮内膜症	一時中断	日本	jRCT2031210685
			慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本	jRCT2031230134
	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	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041250028
					米国	NCT05996003
	NS-229	自社	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031230526
米国					NCT06046222	
P II 準備中	NS-035	自社	福山型筋ジストロフィー (FCMD)	試験開始：2026年度	日本	準備中
	NS-863	自社	肺動脈性肺高血圧症 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症	試験開始：2026年度	日本	準備中
					米国	NCT07441200
					日本	準備中
米国	NCT07441278					
P I / II	NS-050/NCNP-03	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2027年度	日本	jRCT2041240060
	ATSN-101	導入 アセ・セラピューティクス社	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	NCT06053814
	RGX-111	提携 リジェネラティブ社	ムコ多糖症 I 型	臨床試験の実施保留中 ¹	米国	NCT03580083
P I	NS-917 (radgocitabine)	導入 デルタファイアーム株式会社	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031210452
	NS-025	自社	泌尿器疾患	試験終了：2024年度	日本	jRCT2031220474
	NS-245	自社	炎症性疾患	試験終了：2026年度	日本	jRCT2071250086

※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. 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

NS-863

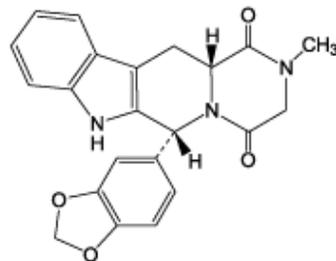
PAH（肺動脈性肺高血圧症）

PH-ILD（間質性肺疾患に伴う肺高血圧症）

日本新薬における肺高血圧症（PH）治療薬

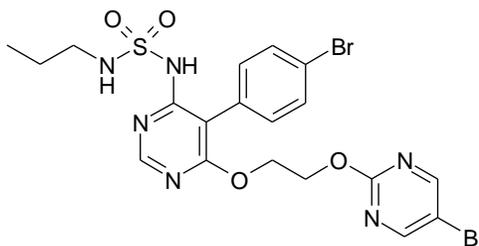


2009年承認
タダラフィル
(アドシルカ)



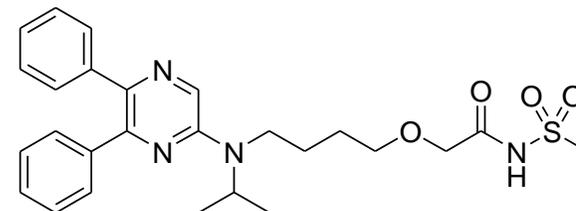
ホスホジエステラーゼ5阻害薬
(PDE5i)

2015年承認
マシテンタン
(オプスミット)



エンドセリン受容体拮抗薬
(ERA)

2016年承認
セレキシパグ
(ウプトラビ)

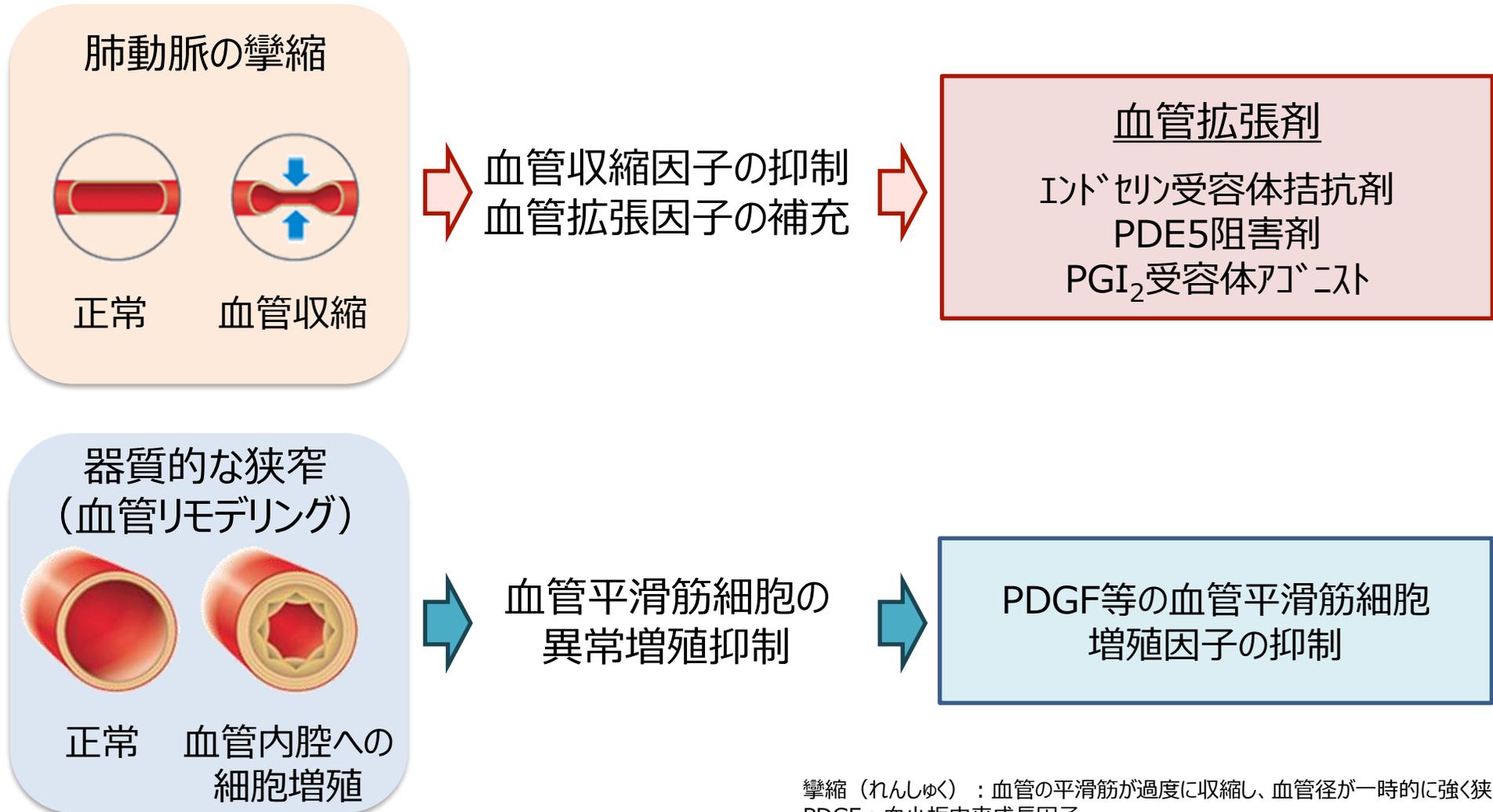


PGI₂受容体作動薬
(PGI₂)

3種の異なる機序のPH治療薬

肺高血圧症（PH）の血管病変

肺高血圧症では肺動脈の攣縮や、器質的な狭窄が発生



攣縮（れんしゆく）：血管の平滑筋が過度に収縮し、血管径が一時的に強く狭くなる状態
PDGF：血小板由来成長因子

肺高血圧症（PH）治療剤におけるポジショニング

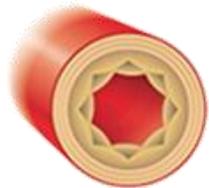
		経口投与			
血管拡張		セレキシパグ エンドセリン受容体拮抗剤 PDE5阻害剤 sGC刺激剤		NS-863 (PDGFR阻害剤)	血管リモデリング 改善
		静注/皮下/吸入 PGIアナログ		セラルチニブ (吸入PDGFR阻害剤) P3試験中	
				ソタテルセプト (皮下投与、アクチビン シグナル伝達阻害剤) 日欧米：承認	
		非経口投与			

NS-863は、PDGFR阻害作用を機序とする、初の経口投与可能な血管リモデリング改善剤

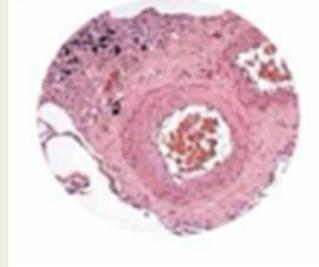
sGC：可溶性グアニル酸シクラーゼ
PDGFR：血小板由来成長因子受容体

肺高血圧症（PH）におけるアンメットメディカルニーズ¹

器質的な狭窄
(血管リモデリング)



PAH



- 既存治療で生存期間は改善しているが、その中央値は依然として10年未満
- 重症例では非経口PGI₂が使用されており、QOLを著しく低下させる

**アンメットメディカルニーズ：
血管拡張以外の作用機序による治療効果の向上**

PH-ILD²



- 顕著な肺血管リモデリングが認められる
- PHの中でも予後不良
- 承認薬はトレプロスチニル吸入剤のみ

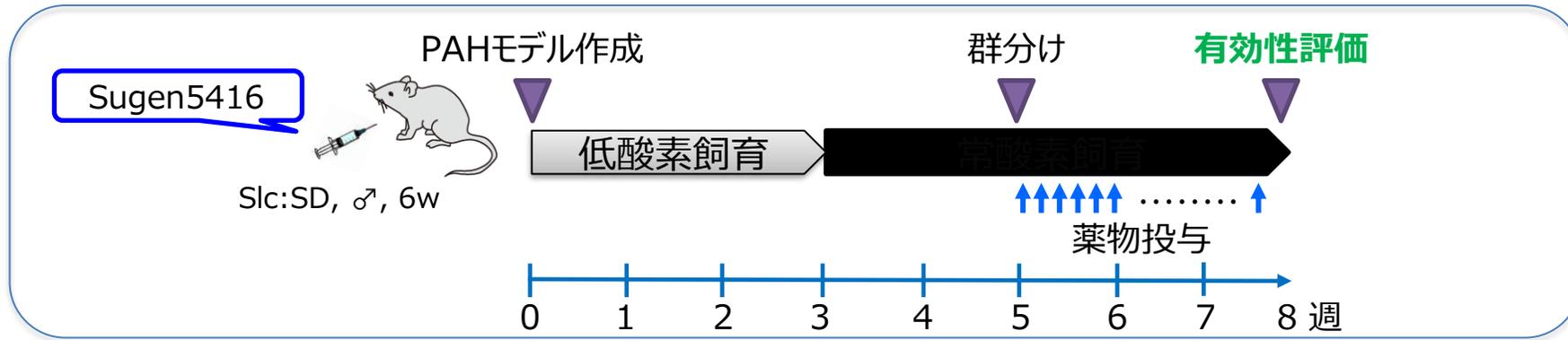
**アンメットメディカルニーズ：
治療選択肢の拡充**

1. 医療関係者や患者さんにとって十分に満たされていない医療ニーズのこと。例えば、いまだに有効な治療方法が見つからない病気に対する新しい治療薬や治療法のニーズなどが挙げられる
2. 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症

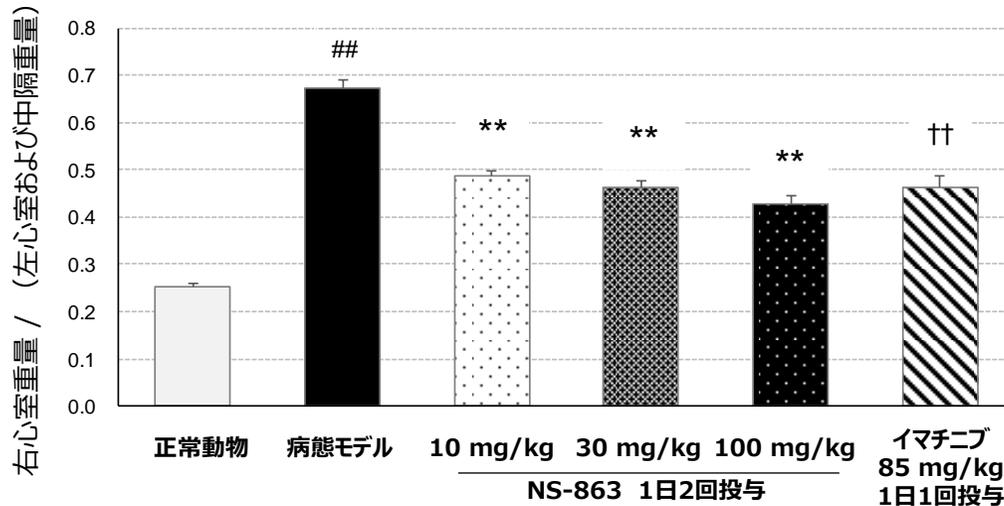
NS-863 : 概要

対象疾患	PAH（肺動脈性肺高血圧症） PH-ILD（間質性肺疾患に伴う肺高血圧症）
作用機序	血小板由来成長因子受容体（PDGFR）選択的阻害
開発形態	自社開発
剤形	経口剤
特徴	<ul style="list-style-type: none">肺血管拡張薬とは異なり、肺血管の閉塞（血管リモデリング）を改善する。経口投与可能なため、利便性が高い肺高血圧症治療剤となると期待される。

NS-863 : 非臨床試験 (モデルラットを用いたNS-863のPAH病態に対する有効性評価)

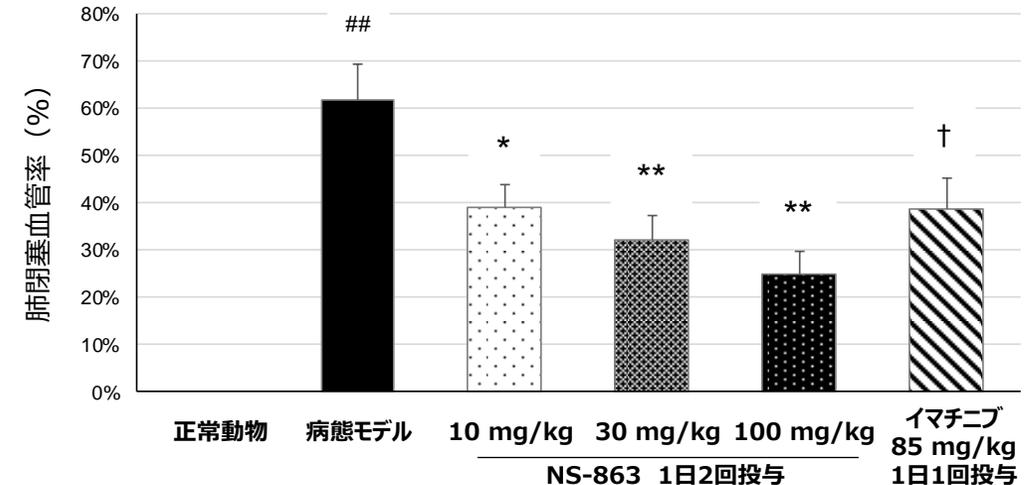


右心肥大



各条件 (n=6~8) の平均値+標準誤差を図中に示した。
 ## p<0.01 vs. 正常動物 (Studentのt検定), †† p<0.01 vs. 病態モデル (Studentのt検定),
 ** p<0.01 vs. 病態モデル (Williamsの多重比較検定)

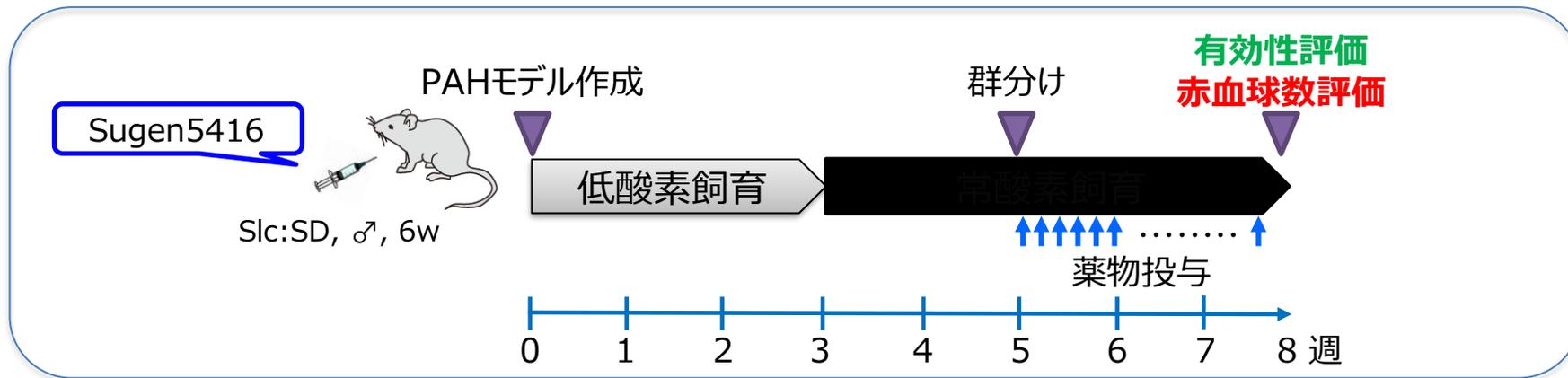
肺閉塞血管 (血管リモデリング) 率



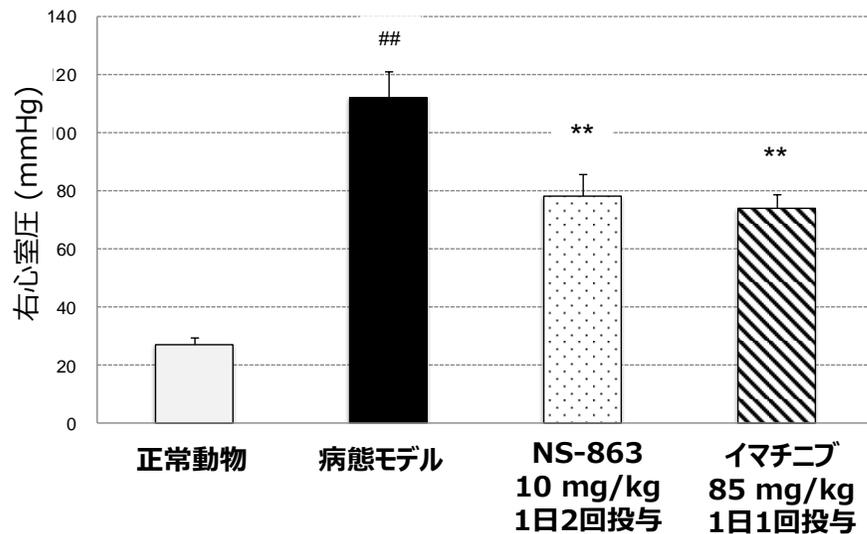
各条件 (n=6~8) の平均値+標準誤差を図中に示した。
 ## p<0.01 vs. 正常動物 (Studentのt検定), †† p<0.01 vs. 病態モデル (Studentのt検定),
 * p<0.05, ** p<0.01 vs. 病態モデル (Williamsの多重比較検定)

NS-863 (10 mg/kg、1日2回) は、イマチニブ (85 mg/kg、1日1回) と同程度の右心肥大および血管リモデリング改善作用を示した。

NS-863 : 非臨床試験 (モデルラットを用いたNS-863のPAH病態に対する有効性および赤血球数評価)

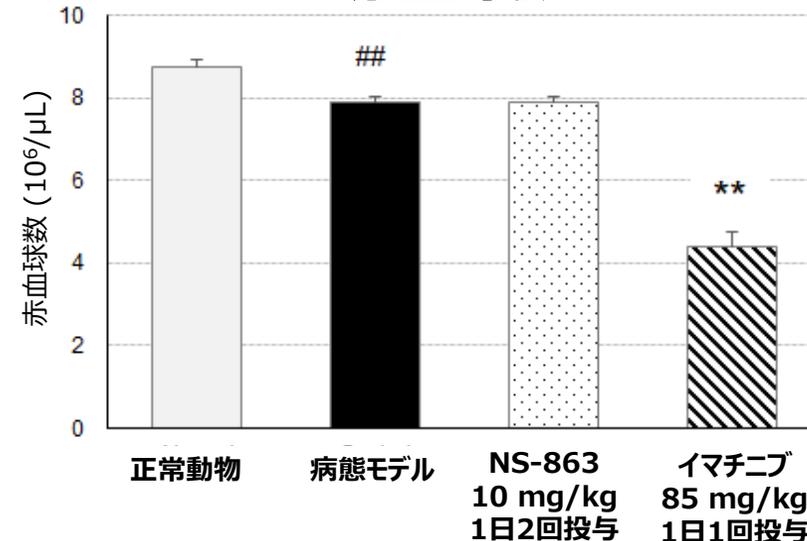


右心室圧 (RVSP)



各条件 (n=5~7) の平均値 + 標準誤差を図中に示した。
p<0.01 vs. 正常動物 (Studentのt検定), ** p<0.01 vs. 病態モデル (Dunnettのt検定)

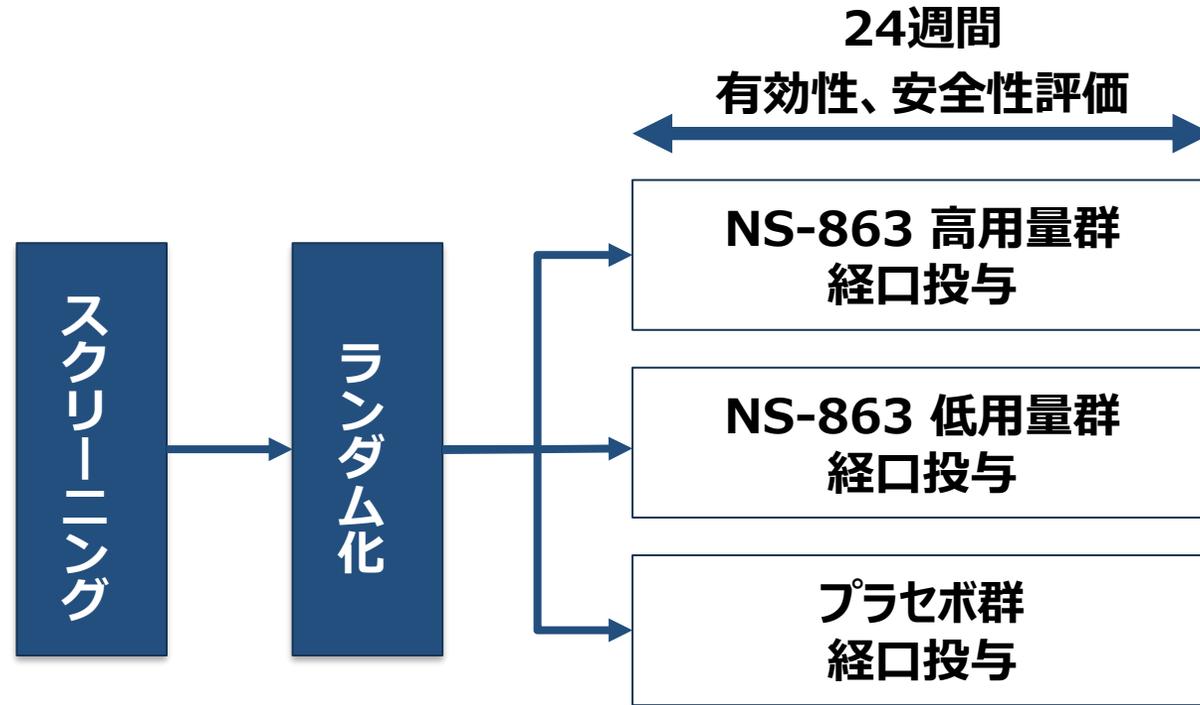
赤血球数



各条件 (n=7~8) の平均値 + 標準誤差を図中に示した。
p<0.01 vs. 正常動物 (Studentのt検定), ** p<0.01 vs. 病態モデル (Dunnettのt検定)

NS-863 (10 mg/kg、1日2回) は赤血球数に影響せず、RVSPを低下させた。

NS-863 : グローバルPⅡ試験計画



	NS863A-P2-01試験	NS863B-P2-01試験
対象患者	PAH患者	PH-ILD患者
症例数	135例	177例
主要評価項目	肺血管抵抗、安全性	肺血管抵抗、安全性
予定試験開始時期	2026年7月	2026年7月

*本スライドは現時点での当社の想定であり、最終的な試験デザインは今後当局との協議を経て決定されます。

NS-035 福山型筋ジストロフィー治療剤

特徴

- 先天性筋ジストロフィー (患者数1,000-2,000人)
- 日本人に特に多い遺伝性疾患
- 進行性筋萎縮と中枢異常

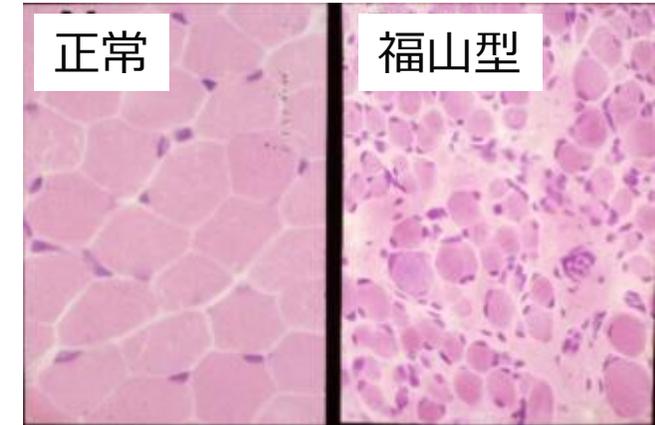
症状

- 座位獲得は平均2歳
- 歩行不能な患者が多く、**10歳前後には寝たきり**
- **嚥下筋・呼吸筋低下**
→10歳代に誤嚥性肺炎や呼吸不全で死亡
- 脳奇形、精神遅滞

治療法

- 対症療法のみ
(理学療法、呼吸補助、心不全対策、抗痙攣薬)

筋細胞が小さく、隙間が空いている

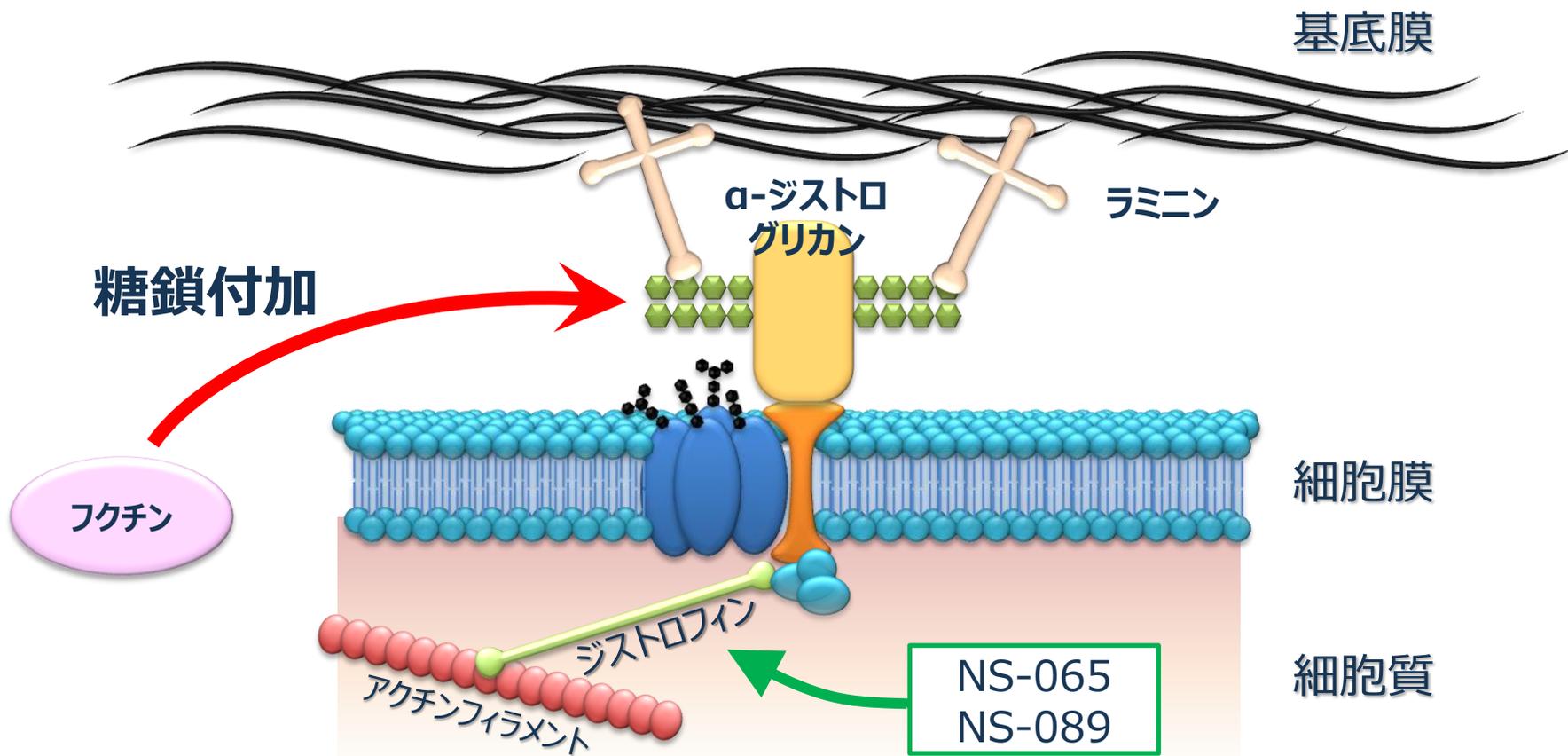


首のすわりの遅れ (平均8カ月)



日本筋ジストロフィー協会HPより

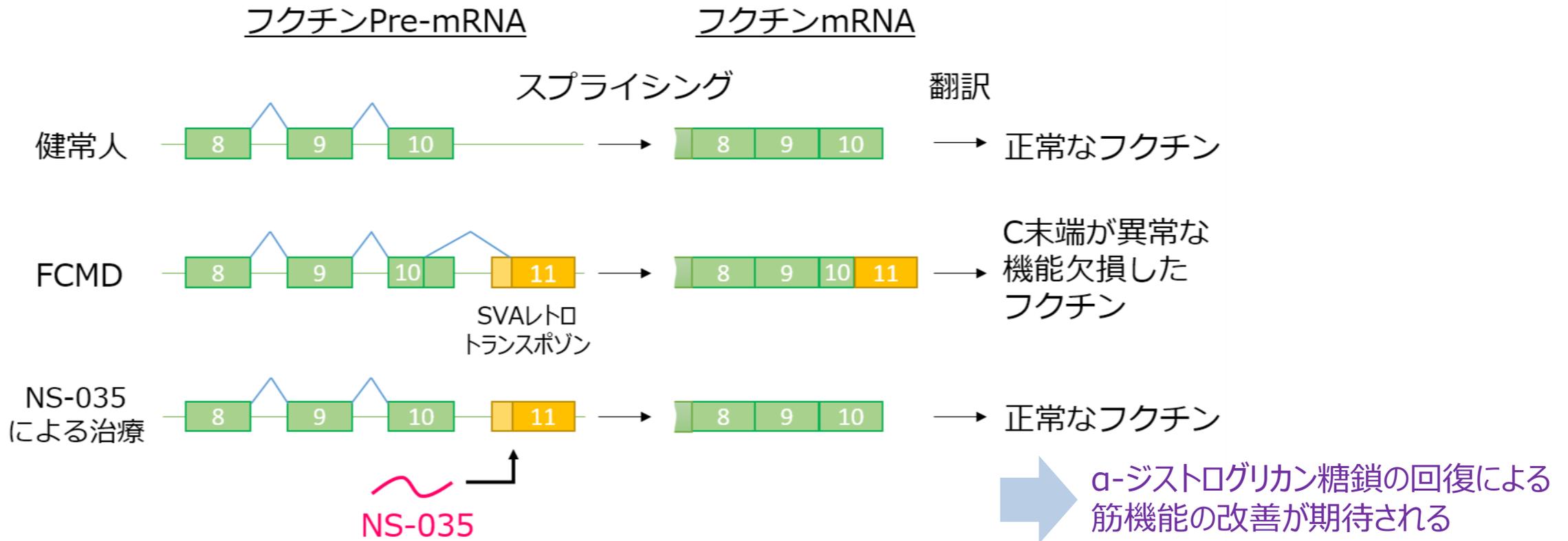
発症機序：フクチンの異常



NS-035 : 治療メカニズム

■ 治療メカニズム

- フクチンmRNA前駆体で生じるエクソン・トラッピングを阻害することで、正常フクチンを発現し、 α -ジストログリカン(α -DG)糖鎖回復に伴う筋機能改善を目指す。



アンチセンス核酸 : NS-035

SVAレトロトランスポゾンのスプライシング受容部位に結合

NS-035 : 国内PⅡ試験計画 概要

試験デザイン	多施設共同、並行群間／単群
対象患者	5歳以上9歳未満の典型例のFCMD患者
症例数	12例以上
用法・用量	<p>点滴静注</p> <p>【二重盲検期】</p> <ul style="list-style-type: none"> NS-035 群 : NS-035 (40mg/kg) 及び D-マンニトール (500 mg/kg) を週1回12週間投与 プラセボ群 : プラセボ 及び D-マンニトール (500 mg/kg) を週1回12週間投与 <p>【オープンラベル期】</p> <ul style="list-style-type: none"> NS-035 (40mg/kg) 及び D-マンニトール (500 mg/kg) を週1回投与
主要評価項目	粗大運動能力尺度 (GMFM-88) 総合点
副次評価項目 (抜粋)	<ul style="list-style-type: none"> α-DG の糖鎖修飾率 糖鎖修飾α-DGの発現 エクソン・トラッピング阻害効率 血清 CK 値 日常生活動作 (ADL) 評価 臨床的全般改善度 (CGI-I)
予定試験開始時期	2026年4月

PLCM (Product Life Cycle Management) の取り組み
NS-304 (セレキシパグ) 閉塞性動脈硬化症治療剤

NS-304 : 閉塞性動脈硬化症 (ASO)

ASOとは、動脈硬化により足の血管が狭窄/閉塞する疾患

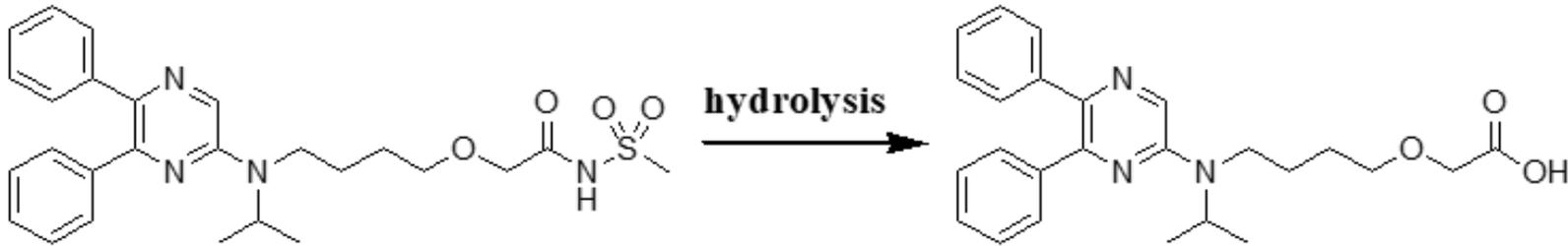
治療（末梢動脈疾患ガイドライン¹）

- ①運動療法：QOL改善、間歇性跛行の症状改善
- ②薬物療法：抗血小板薬/抗凝固薬（心血管イベントの予防）
シロスタゾール（ASOに基づく潰瘍、疼痛及び冷感等の虚血性諸症状の改善）
- ③外科療法：血行再建術（EVT²、外科的血行再建）

国内で、間歇性跛行³の歩行改善のエビデンスを有し適応症に明記している薬剤はなく、アンメットメディカルニーズが生じている

1. [2022年改訂版末梢動脈疾患ガイドライン](#)
2. EVT (endovascular therapy) : 血管内治療
3. 間欠性跛行：歩くと足が痛むが、休むと治る症状。動脈の狭窄で血流が足りないため起こる。

NS-304 : 概要

一般名	selexipag
販売名	ウプトラビ
構造式	 <p>NS-304 (prodrug) $\xrightarrow{\text{hydrolysis}}$ MRE-269 (active form)</p>
作用機序	プロスタサイクリン (PGI ₂) 受容体アゴニスト
起源	自社
剤形	フィルムコート錠
効能・効果	ウプトラビ錠 : 1) 肺動脈性肺高血圧症 (PAH) 2) 慢性血栓塞栓性肺高血圧症 (CTEPH) 現在PⅢ準備中 : 閉塞性動脈硬化症 (ASO)
用法・用量	【ASO適応 (予定)】 経口投与 1日2回 (用量 : 0.2~1.2 mg/回)

NS-304 : ASOを適応症とする概要

領域/診療科	心臓血管外科、循環器内科、内科、整形外科、糖尿病・代謝・内分泌科
起源	自社
剤型	錠剤
効能・効果	閉塞性動脈硬化症(ASO)に伴う間歇性跛行の改善
用法・用量	経口投与 一回200 µgから投与をはじめ、最大1,200 µg /回まで用量漸増、1日2回
有効性	<ul style="list-style-type: none">・活性代謝物MRE-269のIP受容体への選択的かつ持続的アゴニスト作用の発現。・ASOの疾患モデルラットの病態の改善。
安全性	<ul style="list-style-type: none">・非臨床毒性試験において問題となる所見はない。・臨床試験で発現頻度の高い副作用は、頭痛、悪心、嘔吐、顎痛等。

NS-304 : ASOを適応症とする国内PⅢ試験計画 概要

PⅡ試験の良好な結果を受け、PⅢ試験を開始

試験デザイン	無作為比較、二重盲検、プラセボ比較、並行群間比較
対象患者	閉塞性動脈硬化症(ASO)に伴う間欠性跛行を有する患者
症例数	194例
投与量	NS-304またはプラセボを1日2回経口投与する。 200 µg/回より投与を開始、忍容性に応じて最大1200 µg/回まで漸増する。 決定した被験者ごとの維持用量を16週間投与する。
主要評価項目	対数変換した最大歩行時間のベースラインからの変化量
副次評価項目 (抜粋)	跛行出現時間、安静時ABI、WIQスコア、SF-36スコア
試験開始	2026年3月

疾患、作用機序およびモダリティの組み合わせで独自性の高い研究を進め、差別化を図り、
特長と競争力のあるシーズを次々と生み出す製薬企業を目指す

注力疾患

作用機序

日本新薬が目指す創薬

モダリティ

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。