



日本新薬

日本新薬株式会社

2024 年度決算説明会

2025 年 5 月 8 日

イベント概要

[企業名] 日本新薬株式会社

[イベント種類] 決算説明会

[イベント名] 2024 年度決算説明会

[決算期] 2025 年度 通期

[日程] 2025 年 5 月 8 日

[登壇者] 5 名

代表取締役社長 中井 亨 (以下、中井)

常務取締役 営業担当 佐野 省三 (以下、佐野)

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 高垣 和史 (以下、高垣)

執行役員 経営企画部長 武智 秀泰 (以下、武智)

登壇

中井：日本新薬社長の中井亨でございます。

本日はお忙しい中、当社の2024年度決算説明会にご参加いただき、誠にありがとうございます。
厚く御礼申し上げます。

本日の内容

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

本日は、私から、2024年度の業績と2025年度の業績見通しに加え、第七次中期経営計画のアップデートについてお話しさせていただきます。

その後、研究開発品目の進捗状況につきましては、研究開発担当の高垣から説明させていただきます。

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% |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

4

それでは、2024年度業績と2025年度業績見通しについて説明させていただきます。

スライド4ページをご覧ください。

2024年度の業績の概要ですが、連結売上収益1,602億3千2百万円、営業利益354億5千万円、税引前利益361億3千5百万円、親会社の所有者に帰属する当期利益325億5千8百万円となりました。

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
- ✓ ビルテブソ、ウプトラビ等の売上伸長
- ✓ ビキセオス、フィンテブ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%)

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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

5

スライド5ページをご覧ください。

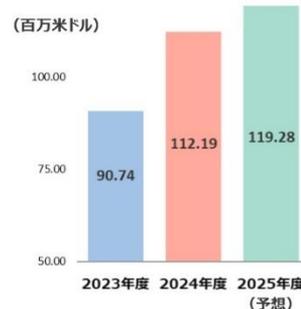
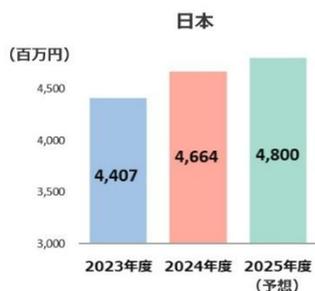
医薬品事業ですが、薬価改定の影響や、後発品の影響で「ビダーザ」などの売上が減少したものの、「ウプトラビ」や同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入、「ビルテプソ」などが伸長しました。

加えて、昨年5月に販売を開始しました「ビキセオス」などが寄与し、医薬品事業の連結売上収益は、1,386億5千4百万円と、対前期比10.8%の増収となりました。

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 |



スライド6ページをご覧ください。

こちらでは、日米で販売を行っている「ビルテプソ」の売上をお示ししております。

2024年度の売上実績ですが、日本国内で46億6千4百万円、米国で171億1千7百万円と、対前期比で日米ともに伸長しました。

2025年度の売上予想については、日本国内で48億円、米国で167億円を想定しております。

為替レートの影響により円換算した米国での売上予想は減少する見込みですが、ドルベースでは増加する見込みです。

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

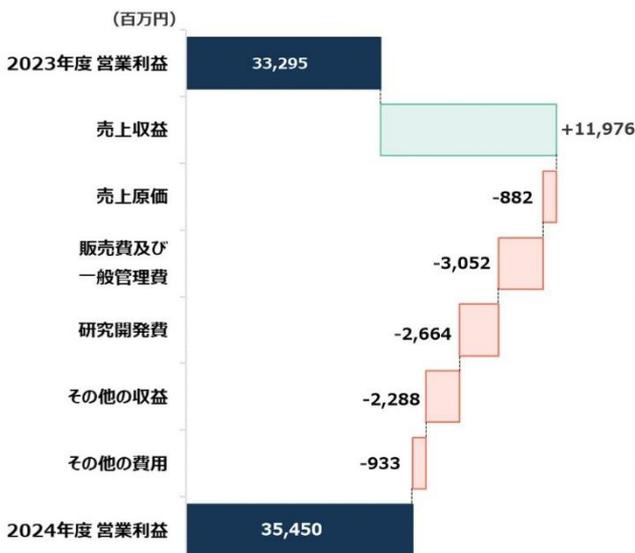
●健康食品素材 1,122百万円
(対前期比 -125百万円 -10.1%)

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 7

スライド7ページをご覧ください。

次に機能食品事業ですが、サプリメント等の売上が増加したものの、プロテイン製剤等の売上が減少し、機能食品事業の連結売上収益は、215億7千7百万円と、対前期比6.8%の減収となりました。

営業利益



●売上収益 160,232百万円
(対前期比 +11,976百万円 +8.1%)

- ✓ ビルテプソ、ウトラビ等の売上伸長、新製品ピキセオスの寄与
- ✓ ウ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

●販売費及び一般管理費 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
- ✓ ピキセオス、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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 8

スライド8ページをご覧ください。

次に営業費用ですが、売上原価率は、薬価改定の影響はあるものの工業所有権等収益や売上構成などの要因により、前期と比べ2ポイント改善し、31.9%となりました。

販売費及び一般管理費は、新製品の発売準備に伴う NS Pharma での販売費用の増加などにより、380 億 1 千 1 百万円と、対前期比 8.7%の増加となりました。

研究開発費は、委託研究費および治験薬製造費用の増加などにより、343 億 4 千 1 百万円と、対前期比 8.4%の増加となりました。

結果として、営業利益は 354 億 5 千万円と、対前期比 6.5%の増益となりました。

予想損益計算書（連結）

| (百万円) | 2024年度 | | 2025年度 | | 差異 | 増減率 | 為替 (円、対米ドル) | |
|------------------|-----------|---------|-----------|---------|-----------|---------|--------------|--------------|
| | 実績 | 売上比 | 予想 | 売上比 | | | 2024年度 実績 | 2025年度 予想 |
| 売上収益 | 160,232 | 100.0% | 173,000 | 100.0% | +12,768 | +8.0% | 152.6 | 140.0 |
| （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% | | |

2025年度における費用増加理由

販売費及び一般管理費

- ✓ 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。

9

スライド9ページをご覧ください。

続きまして、2025年度の業績見通しについて説明いたします。

連結売上収益は1,730億円を見込んでおります。

営業費用について、売上原価率は31.9%と、前期と比べ同程度を見込んでおります。

販売費及び一般管理費は、新製品の発売準備に伴う NS Pharma での販売費用が増加するなど470億円を見込んでおり、研究開発費は、核酸品目の研究開発に伴う委託研究費や製造費用が増加するなど395億円を見込んでおります。

その結果として、営業利益300億円、税引前利益306億円、親会社の所有者に帰属する当期利益240億円と、前期と比べ減益を見込んでおります。

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、ウプトラビ小児製剤等
3. ロイヤリティ収入の伸長：ウプトラビの海外売上分

スライド10ページをご覧ください。

医薬品事業においては、売上収益 1,500 億円で、前期と比べ、8.2%の増収を見込んでおります。

薬価改定や後発品の影響があるものの、米国にて今年度の後半に発売を予定している「CAP-1002 一般名：deramiocel」や、国内新製品の「ビキセオス」、適応を追加した「フィンテプラ」などの売上が伸長すると見込んでおります。

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

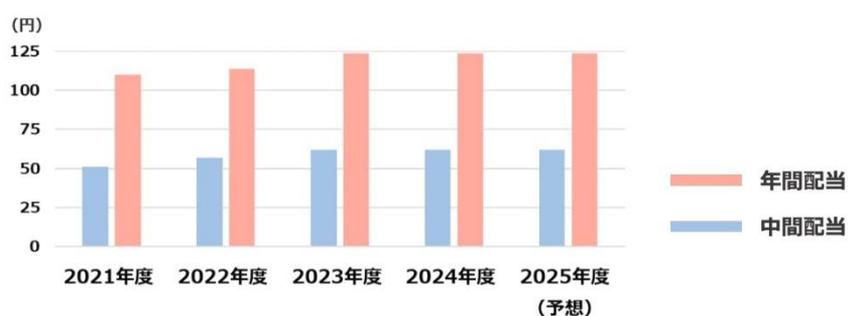
スライド 1 1 ページをご覧ください。

機能食品事業は、新製品の開発・投入に一層注力し重点品目への取り組みを強化することで、売上収益 230 億円と、前期と比べ、6.6%の増収を見込んでおります。

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）



スライド 1 2 ページをご覧ください。

当期の配当金につきましては期末配当を1株当たり62円とし、先の中間配当1株当たり62円とあわせて年間124円を予定しております。

次期の配当予想額につきましては、中間配当1株当たり62円、期末配当1株当たり62円の年間で1株124円を予定しております。

以上、2024年度の業績と2025年度の業績見通しについての説明を終わらせていただきます。

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 | |

NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 14

続きまして、ここからは第七次中期経営計画のアップデートについてご説明いたします。

スライド14ページをご覧ください。

2024年度からスタートした第七次中計「For Global Growth Beyond the Cliff」では、ウプトラビのпатентクリフを乗り越えて持続的な成長を実現するために、『3つの重点テーマ』とそれを支える『5つの経営基盤の強化』に取り組んでいます。

2024年度には、「ビキセオス」等の新製品を4品目発売し、4品目のライセンス契約等を締結しました。

グローバル展開についても米国での販売体制強化、欧州事業展開に向けた検討等、積極的に取り組みました。

今後もこれらの取り組みを進め、第七次中計最終年度である2028年度の定量目標の売上収益2,300億円、営業利益300億円を目指し、万全の態勢で計画を進めてまいります。

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

スライド15ページをご覧ください。

こちらのスライドでは、第七次中計の3つの重点テーマについて2024年度の活動を振り返っています。

1つ目のテーマ「ウプトラビに替わる成長ドライバーの育成」においては、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しました。

PLCMではウプトラビが小児適応を取得し、小児用の製剤も販売を開始しました。

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、これら新製品の早期市場浸透を進めています。

2つ目のテーマ「グローバル展開の拡大」においては、deramiocelについてDMD心筋症の適応で提携先のカプリコール社がBLA申請を行い、2025年度中に上市を予定しており、RGX-121も含め米国での販売体制を拡充しております。

また、欧州でも販売体制を構築すべく、自社販売、アライアンス、M&A等のあらゆる手段について詳細な検討を行っています。

最後の3つ目のテーマにおいては、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しております。

自社創薬では、特にオープンイノベーションを通じた新規創薬モダリティの活用が重要になると考え、英国 MiNA 社と研究提携契約を締結しました。

導入については、ATSN-101、RGX-121/111 についてライセンス契約を締結しました。今後も年1品目以上の導入品獲得を目指します。

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 (タグラキソフス) : BPDEN ² | GA101 (ガザイバ) : 小児特発性ネフローゼ症候群 | ZX008 (フィンデプラ) : CDK5遺伝子欠損症 ³ | NS-089/NCNP-02 (プロギシルセン) : DMD ³ | | NS-050/NCNP-03 : DMD ³ |
| | LY3527727 (ジャイパーカ) : MCL ¹ | | | GA101 (ガザイバ) : ルーパス腎炎 ³ | | | NS-304 (セレキシバグ) : ASO ⁴ |
| | NS-304 (ウブトラビ) : 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 (プロギシルセン) (米) : DMD | | NS-050/NCNP-03 (米) : DMD ³ | |
| | | RGX-121 (clemidsogene lanparovoc) (米) : Δ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) : Δ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、BPDEN: 芽球形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

16

スライド16ページをご覧ください。

こちらは新製品の上市予定をお示ししております。本中計期間において当社は、年平均2品目以上の新製品の発売を目指しており、今年度は国内で1品目、米国で2品目の発売を予定しています。

そのうち、NS-401 及び deramiocel については第七次中計策定時の想定から1年前倒しで発売できる予定です。今年1月に独占的ライセンス契約を締結しましたRGX-121についても、今年度後半に米国での発売を予定しております。

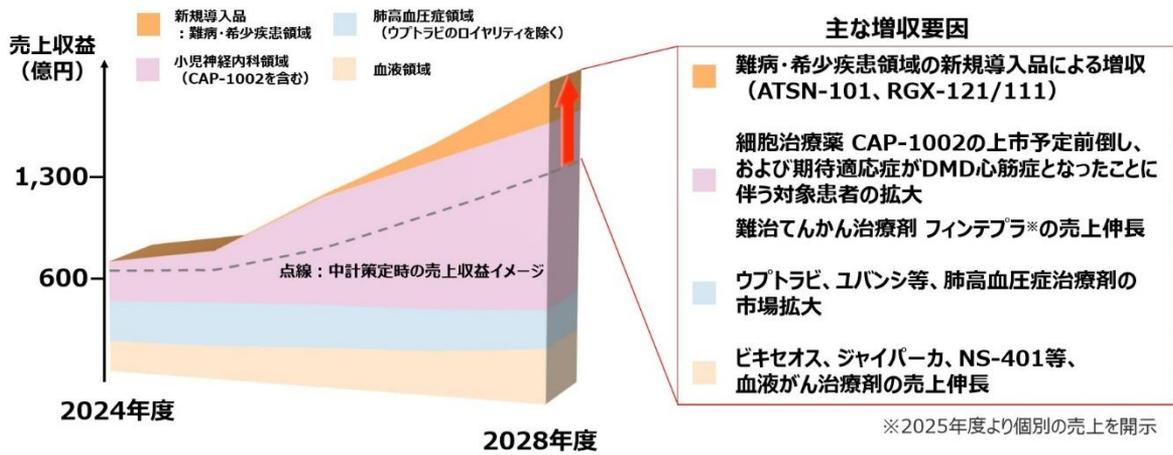
また、NS-050 など開発に遅れが見込まれる品目もありますが、日米以外の国も加えて早期に臨床試験を終了させたいと考えております。

第七次中計期間中の売上収益見込

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.28より改変

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



NIPPON SHINYAKU CO., LTD. 17

スライド 17 ページをご覧ください。

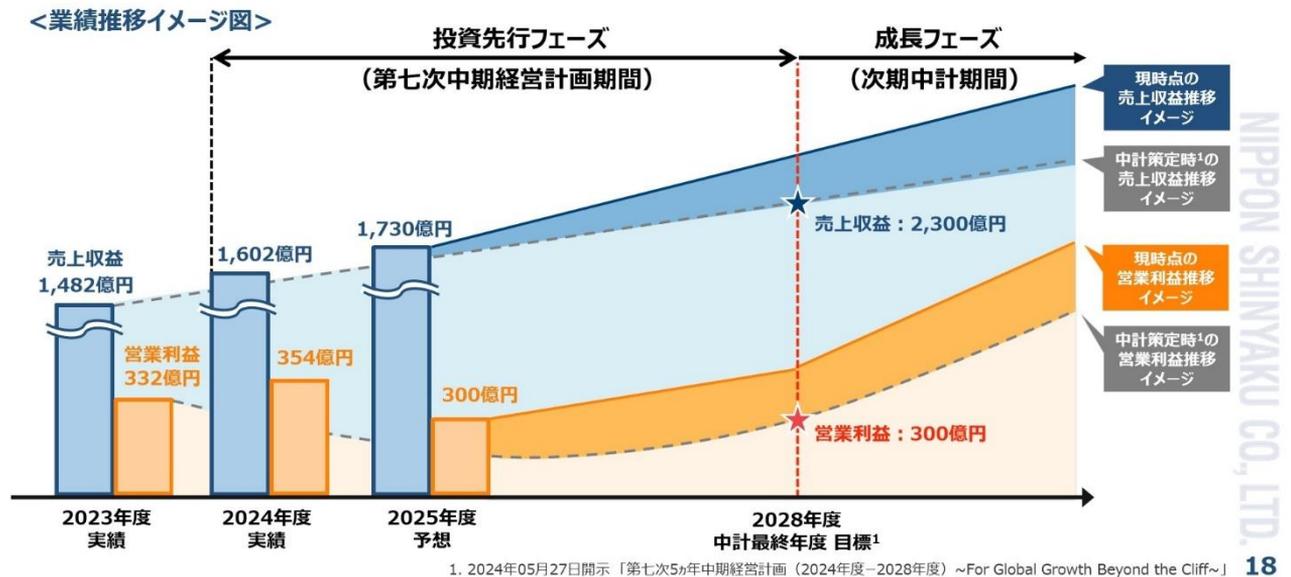
こちらのスライドでは、本中計期間中の売上収益の見込みをお示ししております。

中計最終年度である 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の見込みは、当初の計画値 1,300 億円以上を上回りさらに拡大する見込みです。

主な増収要因としては、deramiocel の発売時期が当初の計画から前倒しになったことや、難病・希少疾患領域の新規導入品による増収などが挙げられます。

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



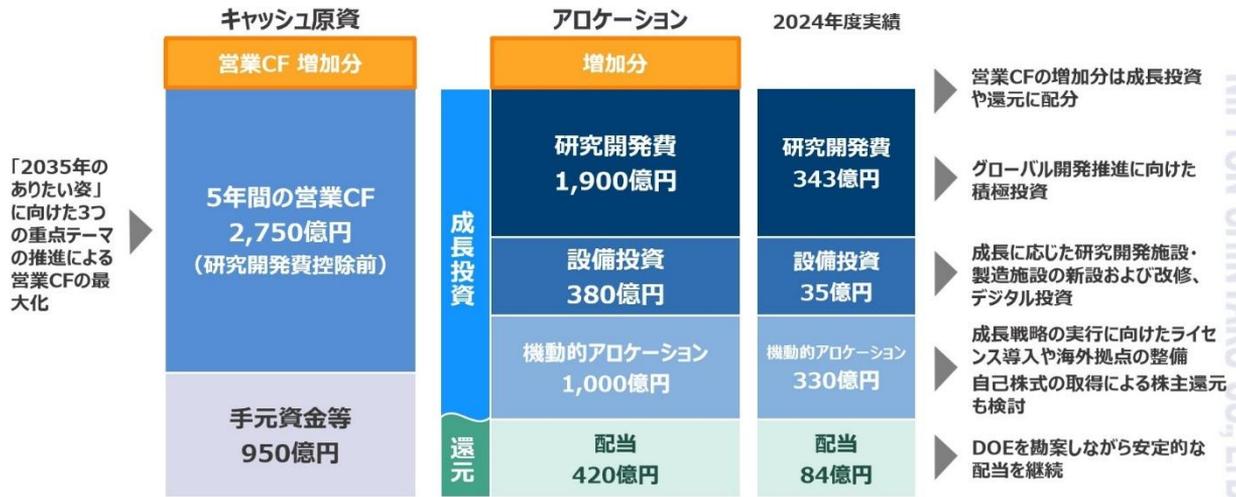
スライド18ページをご覧ください。

当社では本中計期間をウプトラビのパテントクリフを乗り越えるための先行投資を行うフェーズと位置付けております。

今年度は対前年度比での減益を見込んでいますが、来年度以降は先ほどご案内しましたグローバル市場での売上収益の見込みが上振れていることから、当初に比べ営業利益の落ち込み幅は小さく、かつ、より早期に回復すると見込んでおります。

このことで第七次中計の定量目標の達成確度が高まっており、また、2029年度以降の次期中計期間を成長フェーズと捉え、2030年度には売上収益3,000億円、営業利益500億円企業となることを目指します。

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



スライド19ページをご覧ください。

こちらのスライドでは財務戦略についてお示ししております。

キャピタル・アロケーションの基本的な方針は、財務健全性を確保しながら、持続的な成長に必要な投資を積極的に行うことです。

中期経営計画策定当初、キャッシュ原資は5年間の研究開発費控除前営業キャッシュフローと手元資金等を合わせた3,700億円と想定していましたが、開発品の上市前倒しや新製品の早期立ち上がり等により増加すると見込んでいます。

増加したキャッシュについては、中長期的な成長を目指した成長投資や還元配分していく予定です。

これによって、次期中計期間における利益成長フェーズをより確実なものとしてまいります。

以上を持ちまして、第七次中計のアップデートを終わらせていただきます。

CAP-1002 (deramiocel) アップデート

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. \(CAPR\)](#)

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.
20

スライド 20 ページをご覧ください。

こちらのスライドでは5月5日にカプリコール社が発表したプレスリリースの内容をお示ししております。

Deramiocelの本承認取得に向け、FDAの中間評価会議が終了し、現時点では申請内容に重大な欠陥は確認されておらず、PDUFA dateである8月31日に向けて順調に進んでいることが確認されました。

FDAはアドバイザー・コミッティを開催する意向であり、日程は今後決定されます。当社は引き続きDeramiocelの米国での上市に向けて、引き続き準備を進めてまいります。

以上、私からの説明は終わらせていただきます。

続きまして、研究開発の進捗状況について、研究開発担当の高垣より説明させていただきます。

高垣：研究開発担当の高垣和史です。

引き続きまして、研究開発品目の進捗状況について2024年度第3Qの決算以降でアップデートした品目につきまして説明いたします。

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 (ビルトラルゼン) | 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 (ビルトフルチニブ) | ジャイバーカ | 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 (セレキシバグ) | ウプトラビ | 小児肺動脈性肺高血圧症 | 2024年12月 |
| 発売 | NS-304 (セレキシバグ) | 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) | RGX-121 (clemisogone 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) | - | 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

22

スライド 22 ページをご覧ください。

「ビルテプソ」につきましては、2月末に303試験のプロトコルをFDAに提出しており、審査結果や今後のスケジュールについては現在FDAに照会しております。

「ウプトラビ」につきましては0.05 mgの小児用製剤を3月に発売しました。

小児の肺動脈性肺高血圧症に対して国内で使用可能な薬剤は限られており、特にプロスタサイクリン系薬剤では静脈内持続投与を必要とする注射剤のみであることから、同じ作用機序の経口剤が求められていました。

本剤はより低年齢の小児患者さんでも服用できることを目指して開発され、錠剤の直径は既存のウプトラビ錠の半分以下となり利便性が向上しております。

deramiocelにつきましては3月に米国にてBLA申請が受理されました。

優先審査指定を受け、FDAによる審査終了目標日は米国時間の2025年8月31日に設定されました。現在は今年度内の上市に向けて発売の準備を進めております。

RGX-121につきましては、3月に提携先のリジェネクスバイオ社が米国にてBLA申請を行いました。

2021年3月にイタリアのメナリーニ社より導入し、開発を進めてきましたNS-401、タグラキソフスにつきましては、芽球性(がきゅうせい)形質(けいしつ)細胞(さいぼう)様(よう)樹状(じゅじ

ょう)細胞(さいぼう)腫瘍(しゅよう)を期待適応症として、3月に日本における製造販売承認申請を行いました。

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) | - | Ⅱ型糖尿病 | 2025年1月 (米国および日本を含むアジア) |
| | RGX-111 | - | Ⅰ型糖尿病 | |
| オプション契約締結 (AB2 BIO社) | Tadakinig 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 (ビルテプソ) | 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 (プロギシルセン) | - | 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) |

23

スライド 2 3 ページをご覧ください。

自社創製の JAK1 選択的阻害剤である好酸球性(こうさんきゅうせい)多発(たはつ)血管(けっかん)炎性肉芽腫症(えんせいにくげしゅしょう)治療剤の「NS-229」につきましては、4月に米国におけるオーファンドラッグ指定を受理しました。

以上、研究開発の進捗状況について説明を終わらせていただきます。

質疑応答

武智 [M]：それでは、これより質疑応答セッションを開始いたします。

ご質問をお受けする順番といたしまして、まずはアナリスト、機関投資家の皆様からご質問をいただいたあと、報道関係者の皆様のご質問に移ってまいります。

なおご質問される際には、会社名とお名前を述べられた上、ご発言くださいますようお願い申し上げます。

それでは、ご質問を承ります。シティグループ証券、山口さん。お願いいたします。

山口 [Q]：シティの山口です。ありがとうございます。一つ目がビルテプソの今期の予想の中に入っている保険とか[音声不明瞭]とかいろいろ書いてありますけれども、特にこの保険のところですかね。

遺伝子治療のほうは少し死亡例が出て、QoQ ではあまり伸びていない状況も出ていました。こちらの保険の話を含めて、ビルテプソはあまり伸びないんじゃないかというお話もされておられましたけれども、Q3 のときに。この影響がどのぐらい出そうなのかということと、ずっと構造的に出る話なのか、どうなのか。

ビルテプソの予想におけるこのコメントの意味とといいますか、それを最初に教えていただけますでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。アメリカにおけるビルテプソの状況ですが、2024 年度を振り返りますと、投与されている患者さんの数は年度の中で増えていったんですけれども、やはり病態が悪化することで保険償還の対象に残念ながらならなかった患者さんが、保険が通らなくなって脱落していったような患者さんの数が少し見られたことで、2024 年度の着地ではほぼ投与患者数の伸びが鈍化する状況になったということ。

特に遺伝子治療の状況、影響とかそういうものではなく、どちらかというとその患者さんの病態の悪化に沿ったかたちで、保険の影響、保険適用の更新審査の厳格化にヒットしたことが説明できるかと思います。

2025 年度の見通しにつきましては、実際にそういう状況にあっても HUB 登録というか、スタートフォームですね。新たに投与を開始したいという患者さんの数は引き続き増えておりますので、

そういった方々を確実に投薬に結びつけることで、ドルベースでは成長していく見通しであるということでございます。

山口 [Q]：ということは、遺伝子治療のところは Q3 ぐらいでしたか、影響が出ているんですという言葉があったと思うんですけれども、それはその後、何か変わりはありましたか。

中井 [A]：遺伝子治療に数例、切り替わったという状況は確認できているということでございますが、それが劇的にその数が増えていっているところは、見られていないと。遺伝子治療にスイッチしている患者さんの数が、そこからまたますます増えている状況にはないということは、確認できております。

山口 [Q]：1 回出てそのままなのか、ちょこちょこ増えているのか、どちらですか。ちょっと細かい話で恐縮なんですけれども。

中井 [A]：最近の状況は、特にそういった遺伝子治療にスイッチしたという報告を受けていないので。

山口 [Q]：止まっているわけですね、向こうは向こうで多分、治療が止まっているでしょうから。

中井 [A]：そうですね。

山口 [Q]：分かりました、ありがとうございます。あと二つ目が今期の予想の中で、いろんな deramiocel 等々含めて新薬を発売することもあると思うんですけれども、かなり販管費と R&D がガッポリ増えている感じなんですけれども。

各々の要因といいますか、特に deramiocel の場合はカプリーコール向けの支払なんかも、もしかして入っているのかなと思ったりしたんですけれども、実際に入っているのと、あとそういう契約上で入っているのとかももしあれば、どのぐらいが deramiocel 関連、どのぐらいが RGX でとか、そういうのがあれば教えていただければと思います。

中井 [A]：ありがとうございます。deramiocel や RGX の承認に際しての一時金の支払等については、特に PL にヒットすることはなく、いわば BS の一時金に入っていくということで、PL で販管費に入ってくるのは米国の新製品 2 製品の発売準備費用。そこが販管費の増分が 89 億 8,900 万円ですけれども、そのうちの 50 億円近くが、米国の発売準備費用を予定しているということでございます。

山口 [Q]：R&D のほうはプロジェクトに依存しているというか、プロジェクトの数に、これも結構増えているといえは増えているんですけれども。

中井 [A]：こちらの中身については、特に当社の核酸品目の臨床開発の進展、またあとはビルテプソのフェーズ3試験の再度やるというもので使う予定でございます。

山口 [Q]：最後に答えは分からないんですけども、deramiocel が承認されるのかされないのかは、普通にいけばされると思うんですけども、さまざまな FDA のスタッフが代わったり、いろいろスタンスが変わったりしている報道がよくよくご存じだと思うんですけども、皆さんそれが頭に入っていて、本当に大丈夫なのかと心配している人がマーケットにはとても多いわけですが。

御社としては少なくともカプリコール含めて、実際に FDA の方とカプリコール経由でいろいろ話している中で、なんか様子がおかしいぞということは特になくて、粛々と進んでいるのか。やっぱり AdCom（アドバイザリー・コミッティ）が入ったのはどういう意味なのかも含めて、審査、承認は8月31日で変わらないので待っていればいいんですけども、周りの環境がちょっと今ざわざわしているので、その辺をどのように見ておられるのかを、最後をお願いします。

中井 [A]：ありがとうございます。特にカプリコールと AdCom が開催されることで、FDA からもしわれたことについては、その FDA の担当者、責任者が交代したことが影響しているとはっておりません。

どちらかというとな新規のセルセラピーというモダリティを、DMD という疾患に治療する初めてのモダリティということで、やはりアドバイザリー・コミッティを開くことが必要だということは十分、されることが決まっていなくても、そういう想定で準備はすることはカプリコールもいっておりましたので、特に直近のそういう FDA の組織変更が影響しているとは考えていないということでございます。

山口 [M]：ありがとうございます。

武智 [M]：そのほか、いかがでしょうか。UBS 証券、酒井さん。お願いします。

酒井 [Q]：UBS の酒井です。今回 deramiocel ですか、73 億円の予想が入っていると思うんですけども、これの計上の仕方なんですけれども、これはカプリコールに払ったあとのネットの売上なのか、それともグロスを計上されているのかです。

半分ぐらいは向こうに払うというお話をされていたと思うんですけども、これをある意味、販管費で処理されているのか。その辺の出入りを教えていただきたいのと。

この73億円がどこから出てきているかはあれなんですけれども、以前100人ぐらいの待機患者が既にいらっしゃるという話をされていたと思いますけれども、これは一定の薬価をもってして、こ

の数字を計算していると思うんですけども。逆算すると大体、どのくらいの価格かも出てくるんですが、そういう考え方でよろしいですか。

中井 [A]：それでは一つ目のご質問から回答します。deramiocel の 73 億円につきましては、いわば NS Pharma の売上ベースです。それでわれわれ、カプリコール社との提携スキームにつきましては、カプリコール社から製品を NS Pharma が購入しまして、NS Pharma が医療機関、卸さんに売っていくスキームですので。

経済条件で先ほど酒井さんがネットセールスの半分とか、そういう話をされましたが、それは NS Pharma がカプリコールに支払う製品購入代が、そのネットセールスの何がしという立て付けです。ですので 73 億円は、われわれの製品売上というご理解でいただければと考えています。

酒井 [Q]：これは御社が計上する外部売上そのものと。

中井 [A]：そうです。

酒井 [Q]：カプリコールに支払う部分は、販促費で計上されているということですか。

中井 [A]：いえ、原価です。

酒井 [Q]：原価。

中井 [A]：はい。

酒井 [Q]：原価にこの何がしか、この半分ぐらいがボンと入っていると、そういう理解でよろしいですか。

中井 [A]：そうですね、はい。売上原価の部分です。

酒井 [Q]：分かりました。待機患者は。

中井 [A]：待機患者ですけども、この 73 億円の売上のイメージですけども、100 名の待機患者、治験に参加していただいている患者さんと、新規に 100 名程度、獲得するという前提の下で試算しております。

発売が今年の終わりのほうになる予定ですので、PDUFA が 8 月末ですから、そこからもろもろの準備をしまして、実際に売りが立つのは年の終わりのほうです。

ですのでそういったことから、deramiocel は 3 カ月に 1 回の投与なんですね。ですので年 4 回投与されます。それを考えますと本当に最後のクォーターだけ投与される前提で、この売上計画見込みを出しているということで、ご理解いただければと思います。

酒井 [Q]：分かりました。御社の最後のクォーター、第4クォーター、1-3月ということで。

中井 [A]：そのとおりです。

酒井 [Q]：ありがとうございます。それからもう一つだけ。301試験、303試験、ビルテプソなんですけれども、これはまだFDAと協議しているんですか。何か高垣さん、さらっとかわされちゃったので、もう少しアップデートをいただけないですか。

高垣 [A]：アップデートといたしましては、詳細な最終301試験の結果につきましては、昨年末にFDAに提出しまして、追加の303試験の詳細なプロトコルを2月末に提出しました。これはFDAからの詳細なプロトコルを見たいという求めによって、詳細なプロトコルを2月末に提出しております。

通常こういった審査期間、大体60日ぐらいといわれているので、もうそろそろかなと思っているんですけれども、まだFDAから反応がありませんので、今、問合せを行っているところではありますけれども、現状としてはまだ反応がない状況が続いております。

酒井 [Q]：分かりました。FDAからの回答は、そうすると303のプロトコルで治験を開始しているですよ、またはもう少し工夫してくださいと、そういう回答がくるという理解ですか。

高垣 [A]：301試験のレビュー、プラス303試験の変えてくださいか、このままやってくださいか、そういう回答というか、そういうことを話し合う会議を持つことになると思います。

酒井 [Q]：301試験のレビューとなると、そこでもう一度このデータのあれが問われるということなんですか。

高垣 [A]：われわれ昨年10月の前に提出したのはサマリーデータでしたので、詳細なデータは昨年末に提出しておりますので、そのレビューになります。

酒井 [M]：分かりました。どうもありがとうございます。

武智 [M]：それではオンラインからご参加の、みずほ証券、田中さん。よろしくお願いします。

田中 [Q]：みずほ証券の田中です。今、高垣さんに質問があった続きですが、基本的にこのビルテプソの迅速承認は維持されて、それは特に問題はないんでしょうか。追加試験をやればいいことになっていると、考えていてよろしいですか。というのが、まず1問目です。

高垣 [A]：われわれ、FDAへの相談事項としては、迅速承認の維持と追加のP3試験の実施ということで、FDAに今、問いかけをしている状況であります。

状況としては、まだFDAから回答がありませんので変わっていないんですけれども、301試験のサマリーのデータと追加の検証試験、303試験の概略のプロトコルを出した時点で、FDAのほうはまだ301試験の詳細な結果と、303試験の詳細なプロトコルを見たいということでありました。

われわれとしては次の検証試験の実施に、FDAとしても前向きに考えてもらっているのかなと思いますので、承認維持についても検証を前向きに考えていただいているということで、維持していただけるのではないかと期待しております。

田中 [Q]：分かりました。あと2点目、同じエクソンスキッピング、スライド16ページのところで050、ビルテプソがまだ追加（試験）が決まっていないので、下のほうに上市時期未定というのはしょうがないことですが、NS-050（の上市予定）が遅れて29年度になっていますよね。これはもともと、28年度ぐらいではなかったでしたっけ。この理由を教えてください。

高垣 [A]：はい、1年遅れになっております。これは臨床試験の患者さんのエントリーが進んでいないことがありまして、今、日米で当初考えていたんですけれども、少しエントリーが進まないこともありまして、ほかの国にエクспанションしてやろうということで進めております。そこでちょっと余計に時間がかかっております。

田中 [Q]：分かりました。それで、中井様に中計のアップデートをしていただき、ありがとうございます。18ページのスライドで、このオレンジのところは現時点の営業利益の推移のイメージとなっていて、これを見るとウプトラビのпатентクリフはなくなっちゃったように見えるんですけれども。

今のこの売上収益のイメージが、この2,300億円を上回る方向で推移していけば、ウプトラビの27年度のпатентクリフは埋め切れたと、御社では社内では考えているということですか、これは。

中井 [A]：そうですね。端的に答えますと今回導入して発売を予定している品目等が、われわれが想定しているとおりに移してくれれば、特にウプトラビのпатентクリフに際して、へこむ利益を十分カバーできるということで、われわれとしては認識しているのご理解いただければと考えております。

田中 [Q]：これは特にCAP-1002の原価率が30%から50%ぐらいでしたっけ、高くても、ウプトラビのロイヤリティの減少をカバーできるということですか。

中井 [A]：はい、そうですね。そのような原価率であっても、特に販管費のほうで今年度積んでいるプラス50億円、これ以上の販管費の積上げは、それほど考えてはいないですね。

ですので、そちらの販管費がそれほどかからない品目をそのまま取り扱って、成長させていくことで、利益に十分貢献していくようにイメージしていただければいいんじゃないかなと考えております。

田中 [M]：分かりました。私からは以上です。

武智 [M]：それでは JP モルガン証券、若尾さん。よろしくお願いします。

若尾 [Q]：JP モルガン、若尾です。一つ目がビルテプソなんですけれども、別に過度にネガティブに見ているわけではないのですが、これが Accelerated Approval 取り消しになると正直、ちょっと見方のそもそもの前提が変わってしまうので、しつこいようで恐縮ですけれども確認させてください。

CBER のディレクターがヴィネイ・プラサドさんという方になって、この方が割とサロゲートマーカに対して結構、慎重な見方をされている人なのかなと思うんです。そうするとこのデュシェンヌ型筋ジストロフィーにおいても、ジストロフィンで迅速承認を取っている核酸薬品があるので、ビルテプソもそうだと思うんです。

そしてフェーズ 3 があまりうまくいっていないので、それを踏まえて考えると、今の状況からすると従来よりはリスク視しないといけないのかなと、慎重に見ないといけないのかなと思ってしまうんですけれども、もう少しこの辺も踏まえて感触を教えていただけないですか。

必ずしもそのヴィネイ・プラサドさんがディレクターになったとしても、タイミングの問題もありますし、それほどには影響せず、きちんと迅速承認を維持できるのかどうなのか、その辺りの考えを教えてください。

中井 [A]：また高垣からもアップデートしてもらおうと思いますけれども、先ほどのご質問の FDA の CBER の方が代わられたことは、ビルテプソおよび核酸医薬品については、そこをレビューする当局が違うのがあります。CDER のほうですね。そちらで今、核酸医薬は審査されているので、直接ヘッドが代わったような直接影響はないとは、われわれは考えております。

今の核酸医薬をレビューしているチームにおいても、その辺り、きちんとサロゲートマーカと予期できる機能改善、維持の相関というか、関連性については、それこそ科学的に検証というか発表された学説や、そういう見解をもとに承認を下ろしているという、科学的な判断に基づいておりますので、その点は変わることは、われわれとしては考えていないと答えられるかと思えます。

高垣さん、ありますか。

高垣 [A]：私から付け加えることはありません。

若尾 [Q]：ありがとうございました、よく分かりました。二つ目が CPA-1002 の市場浸透について、もう少し詳しく教えていただきたいです。今期で 100 名、100 名ということなので、非常に市場浸透は速いのかなと思うんです。こういった前提を置かれている背景を、もう少し詳しく知りたい。

なので最初の治験患者 100 名というのはよく分かるんですけども、さらに新規の 100 名はどういう前提なのか。さらにこの新規の 100 名というのは来期以降、26 年度以降を見ると、かなりのスピードで市場浸透していくと見ておいてもよいのか。一方で 100 名が最初入って、その後の伸びはある程度、緩やかになると考えておいたほうがよろしいですか。その点について教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。新規の見込んでいる 100 名については、やはりなんといっても DMD 心筋症に適応を持つ治療薬がない状況が、それこそ待ち望まれる薬剤だということで、立ち上がりもスムーズにいくだろうとわれわれは見通している、見込んでいるということでございます。

といいますのも、特にカプリコール社、また NS Pharma が米国で活動するにあたって、エクソンスキッピング薬を投与しても、どうしても臓器の心機能が悪化していくことで、DMD の患者さんの病態が悪化したり、ややもすれば亡くなっていく状況。これをなんとかして救う手立てがないものかということで、そういう医療関係者の方々、また患者団体の皆様が、非常にこの deramiocele に期待をしていることについても、現地で確認ができていることから、それ相応の速さで浸透していくとわれわれは見込んでいるということでございます。

その後どこまで広がっていくのかにつきましても、本当にそういう臨床上の使用感などを実感していただきながら、われわれも 1 人でも多くの患者さんに投薬いただくよう、浸透に努めていきたいということで。だいふ期待はしているということで、ご容赦いただければと考えております。以上でございます。

若尾 [Q]：先日 R&D 説明会のときは、割と対象となる患者さんの数に関して議論があって、患者さんがまだ確認できていないのかなとも見えたのですが、今のご説明ですと既に対象となる潜在的な患者さんもある程度、見えてきている。

中井 [A]：そうですね。左心室駆出率の何パーセント未満の患者さんは大体、どれぐらいいるということについてはきちんとデータを取って、これぐらいの患者さんの数があるだろうということは、つかんでいるということでございます。

若尾 [Q]：どの病院にどれくらいいるかみたいな、そういうより具体的なところもある程度、見えているんですか。

中井 [A]：そうですね、はい。こちら医療機関に行って投薬していただくことになる薬剤でございますので、どの施設に患者さんをつないでいくかという点につきましても、1例1例、既に今治験に入っている患者さんについては特定して、この施設で投薬していこうということはやっております。

ナイーブの患者さんにつきましても、そこで整備した医療機関につないでいくことで、確実に投薬につなげていこうという準備を今、行っているところでございます。

若尾 [Q]：分かりました。最後に18枚目のスライドなんですけれども、このCAP-1002の市場浸透を考えたならば、トップラインはしっかり伸びていくと思うんです。

そして先ほどの販管費も一定、今期レベルがピークであるならば、利益は26年度はいったんこの28年度よりも上にいって、27年度のウプトラビのクリフでちょっと減って、28年度で今回アップデートしていただいた水準になると。なので1回、山ができるみたいなイメージを持ったんですけれども、その理解は間違っていますか。

中井 [A]：こちらのイメージではその山もできずに、CAP-1002 (deramiocel) やRGX等がそこを補って、なだらかに右肩上がりになっていくとイメージしております。

こちらは本当にそういう新製品の立ち上がり次第で状況が変わってくるかもしれませんが、われわれとしては順調に成長したら、こういう2025年度が利益の底となって、右肩上がりに上がっていくと考えているということで、お答えさせていただければと思います。

若尾 [M]：ありがとうございます。以上です。

武智 [M]：モルガン・スタンレー、村岡さん。よろしくお願いします。

村岡 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレー、村岡です。私もCAP-1002に絡む部分です。無事に認可して立ち上がってくれば、それは売れるようになっていうのは私も期待はしているのですが、先日のCBERの人事のときにカプリコールが2日間で3割ですか、株価が下がっていて、やはりマーケットの側もとても不安というのはあるんですけれども。

質問は、これだけカプリコール、本当に300ミリオンドルまで下がりましたし、御社もこれだけ自信があるならば、カプリコールを買えばいいじゃないかというのは本当に思うのですが、それに対してどうコメントしていただけるかが①で。

②は、仮にやはりこれの認可が後ろ倒し、後ろに遅れる、きちんとした臨床データをもう1回持ってきなさいとなったときの、その場合のプランBみたいなものはどうなるのか、教えてください。

中井 [A]：ありがとうございます。一つ目のご質問については個別の企業に対することなので、回答は控えさせていただきたいと思います。

個別の企業に対する回答とも申し上げましたけれども、いろんな提携先については、どのような提携のあり方がベストなのかということは常々、われわれも社内でも議論していますし、パートナーとも議論しているということでございますので、今のところはストレートライセンスでございますが、その後どうなっていくのかについては都度検討し、進めていきたいという答えとさせていただきます。

二つ目です。プランBでございます。これこそ19ページのスライドにもございますように、財務戦略、キャピタル・アロケーションのところで、既に機動的アロケーションで1,000億円を予定している中で、330億円使っているということです。

残りのキャッシュから万が一何か承認が後ろ倒しになるとか、承認が下りないというリスクに備えて、これらのキャッシュを使って、違う成長のドライバーを獲得していくことが、プランBのかなと考えております。

機動的アロケーションの中には成長戦略の実行に向けて、ここの中にそれぞれ承認時のマイルストーンですとか、販売のマイルストーンとかも計画しております。ですので、悪い結果になったときはそれらを使う必要もなくなりますので、それらを原資にほかの機会を探していくのが進め方のかなと我々は考えているということでございます。

村岡 [Q]：ありがとうございます。あともう一つは短信の後ろのデータブックみたいなところの、今年の償却費用なんですけれども、YoYで結構、60億円から79億円、20億円ぐらい増えるんですけれども、これはどういう償却費用が増えるんですでしたっけ。

カプリコールとかリジェネクス関連でしたっけ。それともそれ以外でも、何か増える予定があるんですでしたっけ。どうでしょうか。

枝光 [A]：減価償却費はカプリコールとか契約金の償却ではなくて、有形固定資産の償却です。これは昨年、小田原に核酸棟を建設しましたので、その分の償却費が増加してくるところです。

契約金の償却につきましては、全て原価に入っていきます。以上です。

村岡 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

武智 [M]：ジェフリーズ証券、山木田さん。よろしく申し上げます。

山木田 [Q]：ジェフリーズ証券の山木田でございます。私から何点か、申し上げます。

まず R&D 費なんですけれども、これは 303 が開始する前提で結構、ここを大きく積み増している理解で正しいでしょうか。要は FDA との議論がちょっと長引いて、303 の開始が遅れた場合は結構、これは未達になる可能性は高いのか。教えていただけますでしょうか。

枝光 [A]：研開費の 303 ですね。303 については今、プロトコルを FDA に提出している関係ですので、すぐにまだスタートできる状況にはございませんので、ある程度は見込んでいますけれども、そこが非常に大きいわけではないです。以上です。

山木田 [Q]：ありがとうございます。客先の、これは値上げによるものもありますか。それとも完全なパイプラインの進捗のみでしょうか。

枝光 [A]：特に値上げ、若干はありますけれども、それが大きいということではございません。

山木田 [Q]：分かりました、ありがとうございます。あと deramiocel なんなんですけれども、これはベストケースシナリオと考えたほうがいいですか、この出しているガイダンスの数字は。要はラベルがクリーンなものが付いて、しっかり配送のところもうまく行って、ということろですか。

中井 [A]：そうですね。DMD 心筋症で適応症が取れて、特に年齢制限とかそういう歩行とか不能、可能とかが付かずに、ただそういう心機能のどれぐらいの機能が残っていれば、左心室駆出率がわれわれの想定するパーセントの中で使える、十分使用可能な適応症を認めていただいたら、この金額は達成できるだろうという前提で考えているということでございます。

山木田 [Q]：ありがとうございます。以前 R&D のときに、カプリコールは DMD 患者の 70% ぐらいをカバーできるといっていたところ、御社はもうちょっと少ないかもというニュアンスのことをいわれていた記憶があるのですが、この数字はカプリコール社とはすり合わせた数字なんですか。

中井 [A]：DMD の 70 といっていたんですか。われわれは半分と、そういうことですね。カプリコールは DMD の 70% といっていますが、われわれは全 DMD の半分ぐらいじゃないかということで考えておまして、金額については先方とも共有している状況でございます。

山木田 [Q]：ありがとうございます。最後、簡単に確認だけ。遺伝子治療からビルテプソへのスイッチは何件か見られたとおっしゃっていましたが、遺伝子治療後にビルテプソを投与するケースは、まだ見られていないでしょうか。

中井 [A]：ご質問ありがとうございます。実はこれは今年3月に筋ジストロフィー協会（MDA）の年次総会で、当社のビルテプソを投与いただいている患者さんのデータを発表させていただいております。

その内訳で、ビルテプソを投与する前にどういう状態だったのかという内訳を示しております。ビルテプソ投与前に遺伝子治療を使用していた患者さんは、全体の4%ぐらいいらっしゃるんですね。ですので、従いましてジーンセラピー投与後にビルテプソを投与中の患者さんが、実際は存在しているということを発表しております。

ですので、これは発売してから2024年11月ぐらいまでの全患者さんの中のデータですので、昨年の状況では遺伝子治療を投与されたあとに、ビルテプソに乗っている患者さんが実際に存在していることを確認したことは、今回新たに報告できる内容かと思えます。

またその内訳、補足ですがナイーブ（何も投与していなかった）患者さんが64%で、ほかのエクソスキッピング薬からスイッチしたのが30%。ジーンセラピーが4%で、不明が1%だったという発表をさせていただいております。

山木田 [M]：よく分かりました。ありがとうございます。私からは以上です。

武智 [M]：ありがとうございます。その他アナリスト、機関投資家の皆様、いかがでしょうか。UBS証券の酒井さん、よろしくお願いします。

酒井 [Q]：たればクエスチョンかもしれないですけども、このCAP-1002の議論を拝聴していると、これはDMDを外すのは可能なんですか。つまり心筋症、モードオブアクションを考えると、一般の心筋症、ニアイコール心不全。これは先ほどからいっている、左心室ですよ。するとそこへの適応は十分あり得るんじゃないかと思うのですが、そういったことはカプリコールとは検討されているのか。御社にその権利があるのかどうか。

それこそこれが取れるのであれば、カプリコールを買ってしまえという議論にもいくと思うのですが、その辺はいかがですか。

中井 [A]：ありがとうございます。科学的なところは高垣に譲りますけれども、まずカプリコール社はこのDMD心筋症に加えて、ベッカー型の筋ジストロフィーの患者さんに対しての心筋症で、適応拡大の可能性を今検討していることは、カプリコール社も発表しております。

心筋症全般についての適応拡大は、心筋症になる背景がそれぞれの背景の疾患から違うものですから、それに対して全て拡大できるかという点については、まだちょっとよく分からない状況ですね。

カプリコール社と当社との関係は、DMD の適応に対しての権利を持っている状況でございますので、ベッカー型をはじめ、ほかの心筋症に適応拡大をしたとなっても、われわれは今のところ権利は持っていないということでございます。

高垣 [A]：私が考えますに、ベッカー型のほかに DMD の保因者、X 染色体依存ですので、DMD のお母さんとか、そういう方で心筋症の方も結構おられますので、そういった方は対象になるかなとは想像しております。

武智 [M]：ありがとうございました。それでは、ここから報道関係者の方からのご質問をお受けいたしたく存じます。ご質問される際には会社名とお名前を述べられた上、ご発言くださいますようお願い申し上げます。

下村 [Q]：じほうの下村と申します。お世話になります。1 点だけ、細かいお話で恐縮なんですけれども、財務戦略で 35 億円の設備投資があって、デジタル投資のお話を若干されたと思うんですけれども、その中身について教えていただくことは可能でしょうか。

枝光 [A]：デジタル投資につきましては第七次中計に掲げておりますように、業務変革と生産性向上に向けて推進していくことで、投資を推進していくことを計画しております。

具体的な数字のところまでは今、手元に資料がないんですけれども、事務局、分かりますか。

下村 [Q]：具体的に、例えば研究開発の投資のところではデジタル化をするのか、あるいは営業体制とか何とかいうところでデジタル化をするのか、それとも業務改善のところにつながるのかというところ、その中身を知りたいんですけれども。

枝光 [A]：研究開発のスピードアップに係るところも投資していきますし、全社に係るところにも投資していく予定です。

下村 [Q]：[音声不明瞭]。

枝光 [A]：情報化投資の設備投資ということですよ。

下村 [M]：ありがとうございます。

武智 [M]：そのほか、いかがでしょうか。オンラインで東京海上アセット、水野さん。よろしいですか。

水野 [Q]：ありがとうございます。deramiocel について、おさらいなんですけれども、これもともとカプリコール、御社が開発して計画していたよりも前倒しで、こういうかたちで申請に進んでいった経緯で、FDA からの提案があったというお話があったと思うんですけれども。

そのときの話を今、思い出しながら考えていたんですけれども、これは代理マーカーではなくて、臨床効果が評価されたという解釈してよろしいのでしょうか。

中井 [A]：そうですね。バイオマーカーではなく、心機能の悪化を見えています。それを何と比較するのかで自然歴、それこそアメリカのヴァンダービルト大学が持っている、そういう自然歴データを使って deramioceol と自然歴、その悪化の落ち方を見て、そこの差が十分この薬剤が有効であると読み取れますねということで、それをもとに承認することになりますので。

そういう Accelerated Approval、サロゲートマーカーを使ってということではなく、本承認なんだということをカプリコール社は説明していますし、われわれもそのように理解しているということでございます。

水野 [Q]：分かりました。n 数も決して少なくなかったですよね。患者さんも、そこそこの数はいましたよね。

高垣 [A]：n 数、今すぐは分からないんですけれども、FDA からは治験のデータだけではなくて、自然歴のデータも含めて申請してくださいということで、そこで n 数も増やして対照をとるということだと理解しております。

水野 [Q]：ありがとうございます。先ほどどなたかの質問にもありましたけれども、数日前に任命された CBER の方、サロゲートマーカーはあまり信用しないという立場の方だったと思うので、なので deramioceol についてはそこで安心かなと思ったんですけれども。

一方で、リジェネクスバイオのほうはどうでしょうか。これはちょっとリスクなんじゃないかなと思っているんですけれども、これは導入品で、御社が申請したわけじゃないのでコメントは難しいかもしれないんですけれども、リスクとしてどのようにお考えでしょうか。

高垣 [A]：主要評価項目はサロゲートなんですけれども、実際治験のほうで知的障害の程度といいますか、そこの指標も両方同時に見ておまして、そこでの改善効果も得られておりますので、でするので、すぐに承認があやしくなることは考えていないと思っております。

水野 [M]：大変よく分かりました。ありがとうございます、以上です。

武智 [M]：先ほどの回答で 1 点、補足させていただきます。枝光さん、よろしく申し上げます。

枝光 [A]：先ほど減価償却費の件で、増加要因のところでご質問いただいたときに、ちょっと私、勘違いしてご回答申し上げました点を、もう一度説明させていただきます。

減価償却費が大幅に増えるところで、有形固定資産の分については先ほどご説明申し上げたとおり、小田原の核酸棟の償却費が増加するんですけれども。それからそれ以外に契約金の償却について、原価に反映されるのもお答えしたとおりなんですけれども、その分も減価償却費の中に入っているところについて、私、間違った回答をしたような気がしますので訂正させていただきます。以上です。

武智 [M]：ほか、よろしいでしょうか。オンラインの方もよろしいでしょうか。そちらの方、よろしくをお願いします。

亀田 [Q]：クイックの亀田と申します。ありがとうございます。ビキセオスについてお伺いしたいんですけれども、当初、収載時に予想されていたよりも好調なのではないかと思うのですが、その点の所感と来年の見込みを教えてくださいませんか。

佐野 [A]：ありがとうございます。ビキセオスの当初のピーク時の売上は20億円ということで、AMLの患者さんが1万1,000人いて、そのうちの高リスクのAMLが大体半分の5,000人ぐらいで、そのうち化学療法のフィットの患者さんがその半分の2,300名ということなので。

それを海外のP3と国内のP1/2試験において、60歳から75歳の高リスクのAML患者さんに対して、ビキセオスは従来の化学療法よりOSを有意に改善したことによって、国内に置き換えますと60歳から75歳の患者さんは大体300名ぐらいいたということで、大体ピーク時が20億円という想定で試算していました。

非常に発売時ですけれども、発売前から、先生方のビキセオスに対する評価が非常に高かったことです。それで実臨床において、75歳以上の高齢の患者さんとか、あと60歳未満の患者さんに対しても、この薬剤が処方されております。

また非常に期待度が高い中で、当初見込んでいた初発の患者さんよりも、急を要する再発難治の待機の患者さんが非常に多かったことがありまして、多くの基幹病院とか大学病院で、発売直後の患者限定採用ですとか、そういった前倒しの採用が非常に多く見られました。

ということで、当初想定以上に新規の採用が本当に速く進んだり、新規の処方が速く進んだことで本当に患者さんに対してビキセオスが早く届いたことに関して、日本新薬としては非常にお役に立ったと思っています。したがって当初の計画よりは大幅に早く立ち上がって、市場浸透がなされたということです。

当初、ビダーザという弊社は薬剤を持っていますので、そういった面で骨髄系の先生方との信頼関係は非常に厚く、早期でのそういった対照症例の把握ができたことも、これは大きな要因であるとも思っています。

今後またさらにこの薬剤、初発等で実績を積んで、化学療法フィットの高リスク AML に対して、第一選択薬としてポジショニングを確立していきたいと考えています。

亀田 [M]：ありがとうございます。

武智 [M]：次の質問を最後とさせていただきます。オンラインでご参加の日経バイオテック、橋本さん。よろしくお願いします。

橋本 [Q]：日経 BP の橋本です。確認的な意味も含めてなんですけれども、トランプ政権の政策についてです。医薬品に対する関税など、まだ不明確な部分も多々あると思うんですけれども、御社におかれましてちょうどアメリカへの進出とか、いろいろ手を打っていかうとされていかうところで、トランプ政権のこれから出てくる政策に関連して、様子を見るとか計画をちょっと遅らせるとか、何か考えておられることがあったらお聞かせください。

中井 [A]：ありがとうございます。特に様子を見るとかそういうことは考えておりませんで、着々とわれわれがすべきことを、スピード感をもって実行していくということで考えております。

また関税の点につきましては、今期の業績については対象となる品目はビルテプソなんですね。ビルテプソはアメリカに輸出している品目です。こちらは既に安定在庫といいますか、そういったもので、既にアメリカ国内に入っている状態の品目を今年度は売っていくということでございますので、業績に与える影響はそれほど大きなものではないことは、コメントできるかと思います。

関税の点ですとか、あとは先ほども FDA の審査の状況ですとか、そういったところはまだ流動的な状況でございますので、そういった流れについてはきちんと注視してまいりたいということでございます。以上でございます。

橋本 [M]：どうもありがとうございました。

武智 [M]：それでは以上をもちまして、日本新薬株式会社、2024 年度決算説明会を終了いたします。本日はご参加いただき、ありがとうございました。

[了]

脚注

1. 音声不明瞭な箇所については[音声不明瞭]と記載
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す