

事前質問1

質問	DMD 治療薬について、核酸医薬や細胞治療薬に続く iPS 細胞などの新たな治療薬の開発は進めているのか。また、iPS 細胞を他社が開発した場合、競合ではなく共存できるのか。
回答	当社は、DMD 治療領域において核酸医薬(ビルトラルセンなど)や細胞治療薬(CAP-1002)の開発とともに、新たな治療選択肢の研究にも継続的に取り組んでいます。iPS 細胞を用いた DMD 治療薬の研究は現時点で行っていませんが、DDS 技術を改良した次世代核酸医薬品の研究、遺伝子治療、ゲノム編集などの新技術についてアカデミアやベンチャー企業等とのオープンイノベーションも含め検討をしています。 iPS 細胞に関する他社品が開発された場合も、疾患の多様性や患者様のニーズの観点から治療選択肢の拡充として共存の可能性があると考えています。

事前質問 2

質問	ウプトラビ物質特許に関する職務発明対価訴訟に関して、訴訟を提起した元従業員以外の発明者からも訴訟提起される可能性はないのか。リスク対応はできているのか。
回答	当社では、現時点で他の発明者から同様の訴訟が提起される具体的な兆候は確認しておりません。当社は職務発明報奨規程を法令等に準拠して整備し、従業員にその内容を周知しています。また、発明者には対価の算定根拠や支払いのプロセスについて説明をしており、その報償金額は同業他社と比較しても遜色のないものと考えています。今後も発明者の貢献を尊重しつつ、企業として適切に対応してまいります。

質問1

質問	NS-304 の治験について、腰部脊柱管狭窄症での失敗から得た教訓は何か。その教訓は閉塞性動脈硬化症（ASO）の開発にどう活かされているか。また、NS-304 には血管拡張や血小板凝集抑制作用があり、脳梗塞、育毛、ED 治療などへの適応拡大や剤形追加の可能性があるが、AI などを活用して調査しているか。
回答	ASO も腰部脊柱管狭窄症も運動機能で評価するため、臨床試験の難易度が高いですが、腰部脊柱管狭窄症の治験が失敗した主因は、病態が十分に進行していない患者を登録したことにありました。この教訓を踏まえ、現在進行中の ASO の治験では、事前に運動機能の予備検査を実施し、適切な患者を厳選することで、治験は順調に進んでいます。また、適応拡大については、小児への適応が承認され、2025 年 3 月に小児用製剤を発売しました。 当社は、今後も AI や大規模データベースを活用して、NS-304 のさらなる適応拡大や剤形追加の可能性を探索し、製品価値の最大化と治験の効率化に取り組んでまいります。

質問2

質問	核酸製剤は製造コストが非常に高いが、AI などを活用して製造プロセスの効率化やコスト削減に取り組んでいるのか。また、そのために一変申請を活用しているか。
回答	核酸製剤は製造コストが確かに高いですが、医薬品のため製造方法の変更が容易ではありません。当社では、製造委託先と連携して製造工程の改良を進めています。改良が確認された部分については一変申請を行うなど、段階的にコスト削減を図りたいと考えています。さらに、サプライチェーン全体での効率化にも取り組んでおり、バッチサイズの拡大など、実務面でも製造コストの低減を進めています。AI の活用も視野に入れ、今後も継続的に改善を図ってまいります。

質問3

質問	研究開発に特化したコンプライアンス体制について、専門性のある人材の育成やノウハウの継承はどのように行っているのか。変化の激しい分野であるため、継続的な対応が必要だが、社内ですっかりと体制を整えているのか。
回答	当社は、研究開発のコンプライアンスへの対応として、研究部門から独立した委員会を必要に応じて開催し、外部専門家も交えて審査・判断を行っています。また、当社のチーフメディカルオフィサー（CMO）は研究倫理に精通しているので、CMO の指導を受けて社内の体制を整え、ノウハウの蓄積を進めています。 近年は CMO の指導によりノウハウの蓄積などでできてきていますが、今後の人材育成は重要な課題と認識しています。研究経験者や外部人材の活用も含め、専門知識の継承とアップデートを継続的に行う方針です。

質問4

質問	春闘でのベースアップや今回の最高益・最高売上を踏まえても、配当はDOEを勘案して安定重視の方針なのか。1株62円という水準は、今後も控えめな配当を続けるという意味なのか。会社の考え方を聞きたい。
回答	第六次中期経営計画では業績連動型の配当方針(配当性向 35%)を採用していましたが、第七次中期経営計画では、パテントクリフを乗り越えるための成長投資を行っていきます。その過程で利益が減少する局面であっても安定した配当を維持したいと考えています。この安定配当を維持するとの方針のもと、2025年度は減益予想ながら、前年度と同じ年間124円(中間・期末各62円)の配当を予定しています。

質問5

質問	現在の株価について、経営陣としてどう捉えているのか。パテントクリフを乗り越えられなければ、さらに株価が下がる可能性もあるが、会社としての明確な考え方を示してほしい。
回答	株価は様々な外部要因で形成されますが、現在の株価は昨年と比べて横ばいであり、経営陣としても重く受け止めています。2024年9月の提携先のカプリコール社によるCAP-1002の米国申請など成長投資の成果もあり、2024年後半には株価が上昇しましたが、その後、トランプ政権下での米国の薬価政策などの影響で一時的に下落しました。 しかし、現在、CAP-1002のFDA審査は順調であり、当社としてはパテントクリフを乗り越えるための成長基盤を着実に構築中です。今後もスピード感を持って計画を推進し、利益成長と株価向上を実現していきます。

質問6

質問	医師にウロカルンを処方してもらおうとしたが、薬が入ってこないと言われた。ホームページにも欠品の情報がなかったが、供給状況についてきちんと公表してほしい。
回答	ウロカルンは2024年2月以降、原料であるウラジログシの調達不安定により限定出荷が続いています。これは天候不順や気候変動による影響で、有効成分の含量が不足したためです。 現在は原料状況が改善しており、出荷制限は近く解除できる見込みです。ご迷惑をおかけしていますが、安定供給に向けて対応を進めておりますので、もうしばらくお待ちいただければ幸いです。