2026年度　第2四半期（中間期）
決算説明会

2026年11月13日
日本新薬株式会社

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

本日の内容

1	・2026年度第2四半期の業績 ・2026年度業績予想の修正 ・CAP-1002（deramiocel） アップデート ・成長と収益性向上に向けた取り組み	代表取締役社長 中井 亨
2	・研究開発パイプラインの進展 ・ビルテプソの動向	取締役 研究開発担当 桑野 敬市

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

2026年度第2四半期（中間期）の業績
2026年度業績予想の修正

代表取締役社長　**中井 亨**

ポイント

2026年度 第2四半期（中間期）の業績

売上収益：4期連続 増収（医薬品･機能食品事業ともに増収）

営業利益：減益（販売費及び一般管理費、研究開発費の増加等）

2026年度業績予想の修正

売上収益：90億円下方修正（CAP-1002 (deramiocel)を除外）

営業利益：50億円下方修正（減収に加えて研究開発費の増加）

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

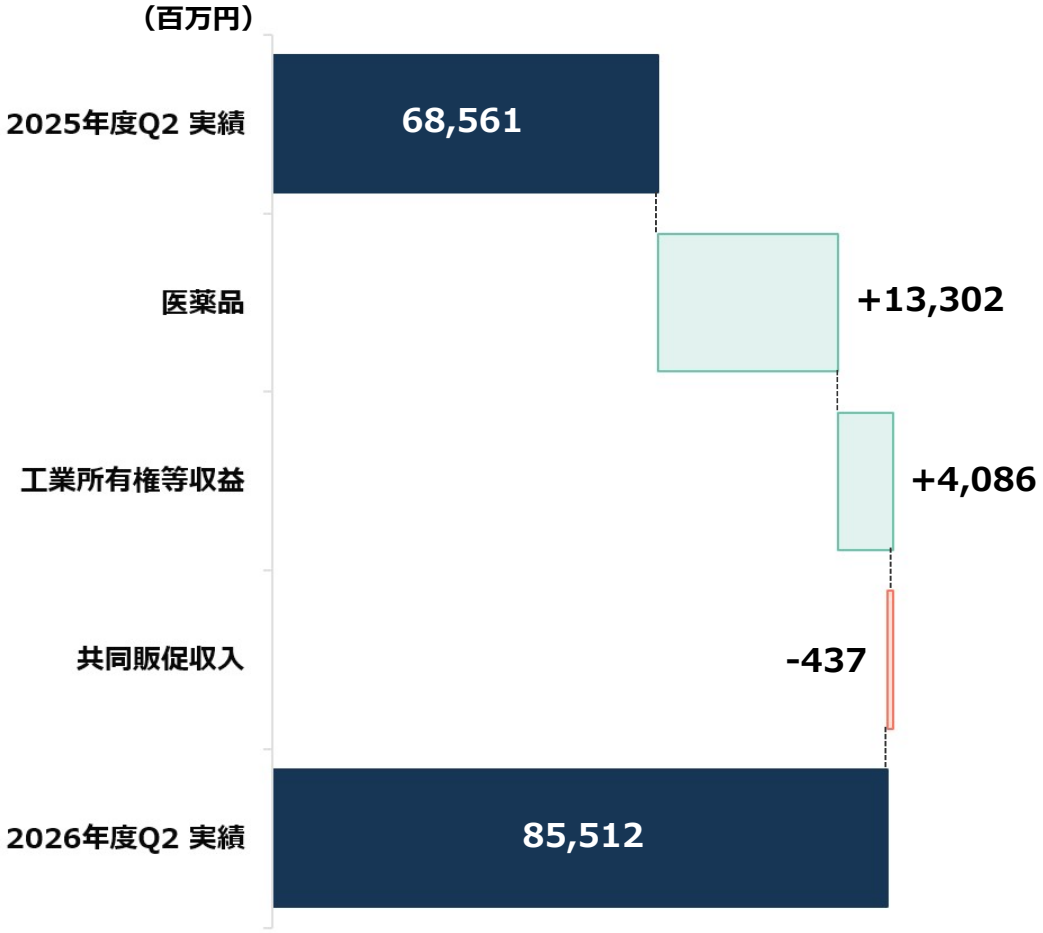
2026年度 Q2（4-9月）概要

- **医薬品・機能食品事業ともに伸長し、4期連続の増収**
- **利益面では売上原価および各種費用が増加し、減益**

(百万円)	2025年度Q2 実績	2025年度Q2 売上比	2026年度Q2 実績	2026年度Q2 売上比	差異	増減率
売上収益	**79,647**	**100.0%**	**97,830**	**100.0%**	**+18,182**	**+22.8%**
（医薬品）	(68,561)	(86.1%)	(85,512)	(87.4%)	(+16,950)	(+24.7%)
（機能食品）	(11,086)	(13.9%)	(12,318)	(12.6%)	(+1,231)	(+11.1%)
売上原価	25,336	31.8%	34,511	35.3%	+9,174	+36.2%
販売費及び一般管理費	20,357	25.6%	22,763	23.3%	+2,406	+11.8%
研究開発費	14,637	18.4%	20,679	21.1%	+6,042	+41.3%
その他の収益	521	0.7%	835	0.9%	+313	+60.0%
その他の費用	258	0.3%	1,439	1.5%	+1,180	+456.7%
（為替差損）	-	-	(1,058)	(1.1%)	(+1,058)	-
営業利益	**19,580**	**24.6%**	**19,272**	**19.7%**	**-307**	**-1.6%**
金融収益	550	0.7%	837	0.9%	+287	+52.1%
金融費用	101	0.1%	103	0.1%	+1	+1.7%
税引前中間利益	**20,029**	**25.1%**	**20,006**	**20.5%**	**-22**	**-0.1%**
法人所得税費用等	4,268	5.4%	4,533	4.6%	+265	+6.2%
親会社の所有者に帰属する中間利益	**15,760**	**19.8%**	**15,472**	**15.8%**	**-287**	**-1.8%**

医薬品売上収益の内訳

- ウプトラビの国内売上および同製品の海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長に加え、フィンテプラ、ジャイパーカ、アーリーダ等が寄与



●医薬品　52,889百万円
（対前年同期比 +13,302百万円　+33.6%）

✓ ウプトラビ、フィンテプラ、ジャイパーカ、アーリーダ等の伸長

●工業所有権等収益　28,267百万円
（対前年同期比 +4,086百万円　+16.9%）

✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長

●共同販促収入　4,354百万円
（対前年同期比 -437百万円　-9.1%）

✓ ユバンシが伸長するも、アーリーダが当社製品売上に計上[1]となり、全体では減少

1. 従来共同販促収入として計上していたが、契約改定に基づき、2025年度下期以降は当社の製品売上および原価に計上

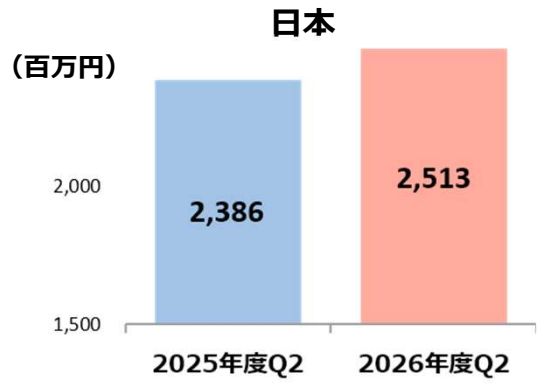
NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

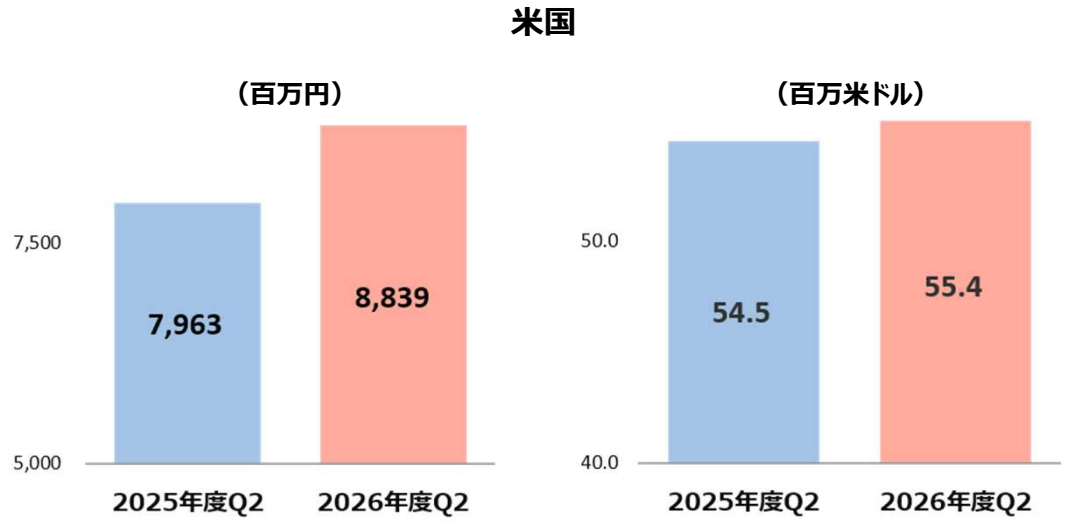
ビルテプソの売上

- **米国での新規患者数は4月以降も増加しているが、上期の投与中止患者数を踏まえ、通期売上予想を175億円から170億円へ下方修正**

（百万円）	2025年度Q2 実績	2026年度Q2 実績	差異	増減率	2026年度 予想	コメント
日本	2,386	2,513	+126	+5.3%	4,900	✓ 現在投与中の患者数は中医協資料のピーク患者数128人の約4分の3 ✓ 低年齢のエクソン53スキップ対象患者の早期発見・早期治療介入に取り組んでいる
米国	7,963	8,839	+875	+11.0%	17,000	✓ 複数の高額DMD治療薬が上市され、保険適応の更新審査が厳格化 ✓ 新規患者数は増加しているが、投与中止患者数も増加しており、前回予想より下方修正
（百万米ドル）	(54.5)	(55.4)	(+0.9)	(+1.7%)	(113.3)	
計	10,349	11,352	+1,002	+9.7%	21,900	

為替レート	2025年度Q2 実績	2026年度Q2 実績	2026年度 下期予想
円（対米ドル）	146.04	159.37	150.00

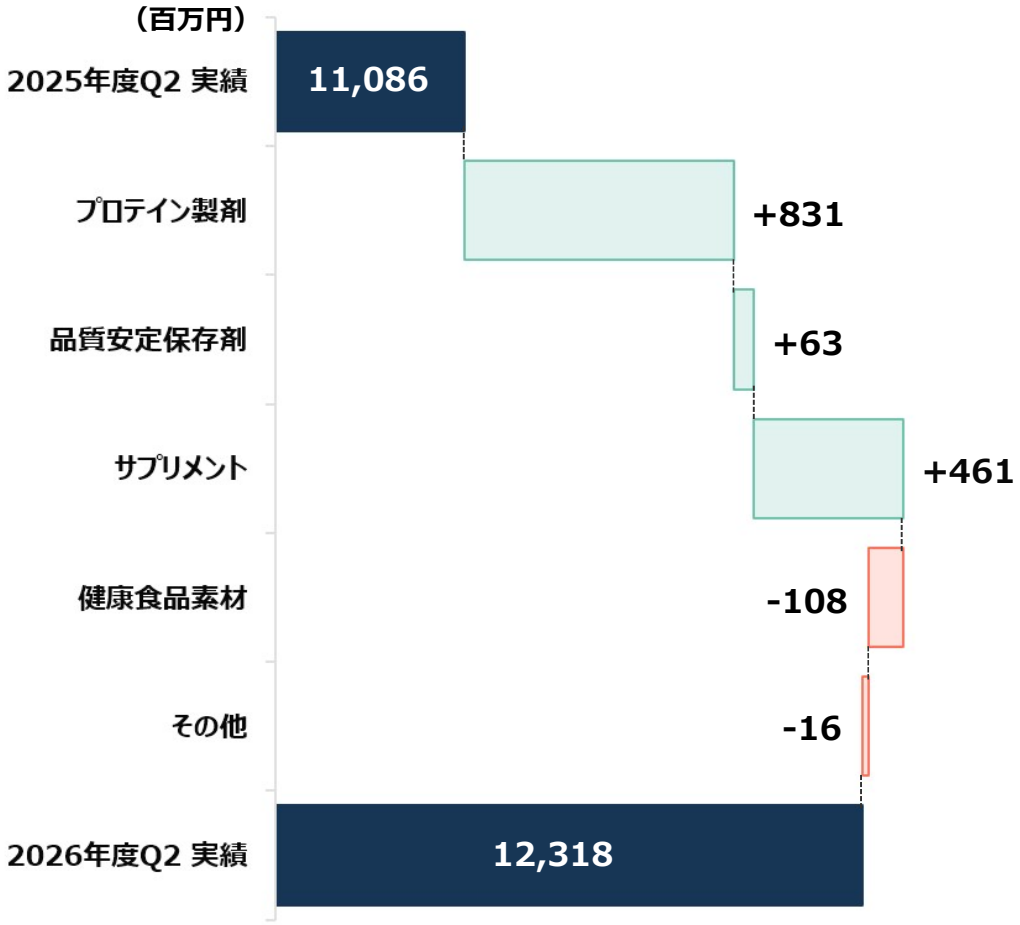




NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

機能食品売上収益の内訳

- **新商品投入や積極的な販売活動等により、全体として増収**
- **主力カテゴリーの乳たん白やスポーツサプリメントが好調**



●プロテイン製剤　7,694百万円
（対前年同期比 +831百万円　+12.1%）

✓ 粉末プロテイン向け乳たん白の販売が好調

●品質安定保存剤　1,687百万円
（対前年同期比 +63百万円　+3.9%）

✓ 大手ユーザーに対して用途拡大を推進したことで、日持向上剤やグリシンの販売量が増加

●サプリメント　1,770百万円
（対前年同期比 +461百万円　+35.2%）

✓ スポーツ分野、エイジングケア分野ともに伸長
✓ プロテイン市場の成長に伴い、スポーツサプリメントの売上が伸長
✓ ホエイ、ソイに続く「第三のプロテイン」エッグプロテインを 新規投入

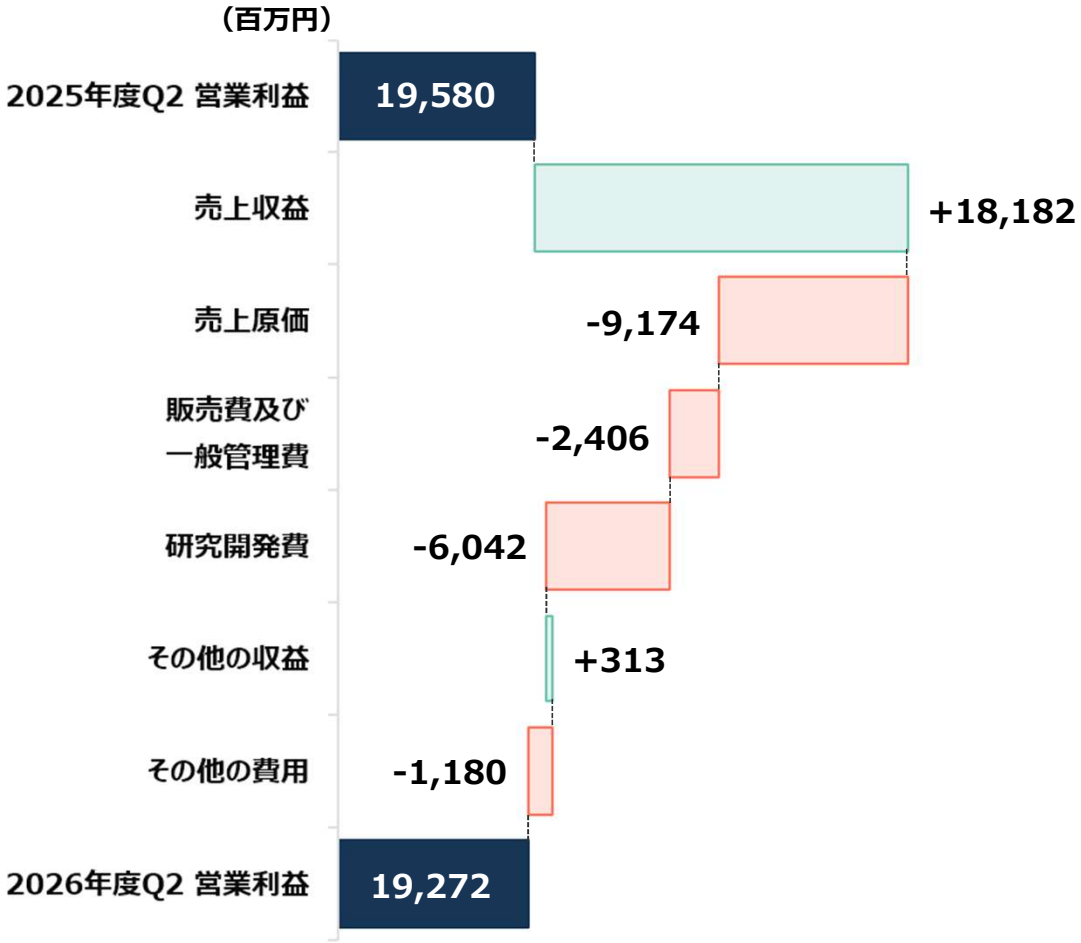
●健康食品素材　513百万円
（対前年同期比 -108百万円　-17.4%）

✓ 大手取引先への販売が昨年に比べ減少

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

営業利益

・売上は増加したものの、売上原価や各種費用が増加し、減益



●売上収益　97,830百万円
（対前年同期比 +18,182百万円　+22.8%）
✓ ウプトラビ、フィンテプラ、ジャイパーカ、アーリーダ等の伸長
✓ ウプトラビの海外売上に伴うロイヤリティ収入の伸長

●売上原価　34,511百万円
（対前年同期比 +9,174百万円　+36.2%）
原価率 35.3%：3.5ポイント悪化
✓ 売上構成比、薬価改定等により原価率悪化

●販売費及び一般管理費　22,763百万円
（対前年同期比 +2,406百万円　+11.8%）
✓ 米国子会社NS Pharmaにおける販売費用の増加

●研究開発費　20,679百万円
（対前年同期比 +6,042百万円　+41.3%）
✓ 委託研究費、治験薬製造費用等の増加
✓ EXG-7001のオプション契約一時金

●その他の収益　835百万円
（対前年同期比　+313百万円　+60.0%）
✓ 不動産売却等

●その他の費用　1,439百万円
（対前年同期比　+1,180百万円　+456.7%）
✓ 為替差損の増加等

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

業績予想の修正

- **CAP-1002（deramiocel）の発売時期が未定であることから、今期予想から除外[1]**

(百万円)	2026年度 前回予想*	2026年度 今回修正予想	差異	増減率
売上収益	**200,000**	**191,000**	**-9,000**	**-4.5%**
（医薬品）	**(176,500)**	**(166,500)**	**(-10,000)**	**(-5.7%)**
（機能食品）	(23,500)	(24,500)	(+1,000)	(+4.3%)
売上原価	**73,000**	**69,000**	**-4,000**	**-5.5%**
販売費及び一般管理費	**47,500**	**45,500**	**-2,000**	**-4.2%**
研究開発費	**40,500**	**42,500**	**+2,000**	**+4.9%**
その他の収益	**1,000**	**1,000**	**-**	**-**
その他の費用	**2,000**	**2,000**	**-**	**-**
営業利益	**38,000**	**33,000**	**-5,000**	**-13.2%**
金融収益	**800**	**1,200**	**+400**	**+50.0%**
金融費用	**200**	**200**	**-**	**-**
税引前利益	**38,600**	**34,000**	**-4,600**	**-11.9%**
法人所得税費用等	**8,300**	**7,000**	**-1,300**	**-15.7%**
親会社の所有者に帰属する当期利益	**30,300**	**27,000**	**-3,300**	**-10.9%**

●売上収益　191,000百万円
（前回予想比 -9,000百万円　-4.5%）
●売上原価　69,000百万円
（前回予想比 -4,000百万円　-5.5%）

✓ CAP-1002 (deramiocel)の今期予想からの除外等

●販売費及び一般管理費　45,500百万円
（前回予想比 -2,000百万円　-4.2%）

✓ 米国販売費用の削減等

●研究開発費　42,500百万円
（前回予想比 +2,000百万円　+4.9%）

✓ 導入品などの開発進捗

1. CAP-1002（deramiocel）の前回（2026年8月6日 2026年度第1四半期決算発表）での売上予想金額は、114億円

*前回予想は、2026年8月6日 2026年度第1四半期決算発表
業績予想における2026年度下期の為替レートは1ドル=150円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.3億円増加、営業利益が約1.8億円増加を想定。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

予想損益計算書（連結）

(百万円)	2025年度 実績	2025年度 売上比	2026年度 予想	2026年度 売上比	差異	増減率
売上収益	**170,771**	**100.0%**	**191,000**	**100.0%**	**+20,228**	**+11.8%**
（医薬品）	(148,484)	(86.9%)	(166,500)	(87.2%)	(+18,015)	(+12.1%)
（機能食品）	(22,287)	(13.1%)	(24,500)	(12.8%)	(+2,212)	(+9.9%)
売上原価	57,460	33.6%	69,000	36.1%	+11,539	+20.1%
販売費及び一般管理費	43,565	25.5%	45,500	23.8%	+1,934	+4.4%
研究開発費	36,713	21.5%	42,500	22.3%	+5,786	+15.8%
その他の収益	3,025	1.8%	1,000	0.5%	-2,025	-67.0%
その他の費用	560	0.4%	2,000	1.0%	+1,439	+256.5%
営業利益	**35,496**	**20.8%**	**33,000**	**17.3%**	**-2,496**	**-7.0%**
金融収益	1,132	0.7%	1,200	0.6%	+67	+6.0%
金融費用	166	0.1%	200	0.1%	+33	+20.5%
税引前利益	**36,462**	**21.4%**	**34,000**	**17.8%**	**-2,462**	**-6.8%**
法人所得税費用等	6,741	3.9%	7,000	3.7%	+258	+3.8%
親会社の所有者に帰属する当期利益	**29,721**	**17.4%**	**27,000**	**14.1%**	**-2,721**	**-9.2%**

業績予想における2026年度下期の為替レートは1ドル=150円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.3億円増加、営業利益が約1.8億円増加を想定。

為替レート（円、対米ドル）

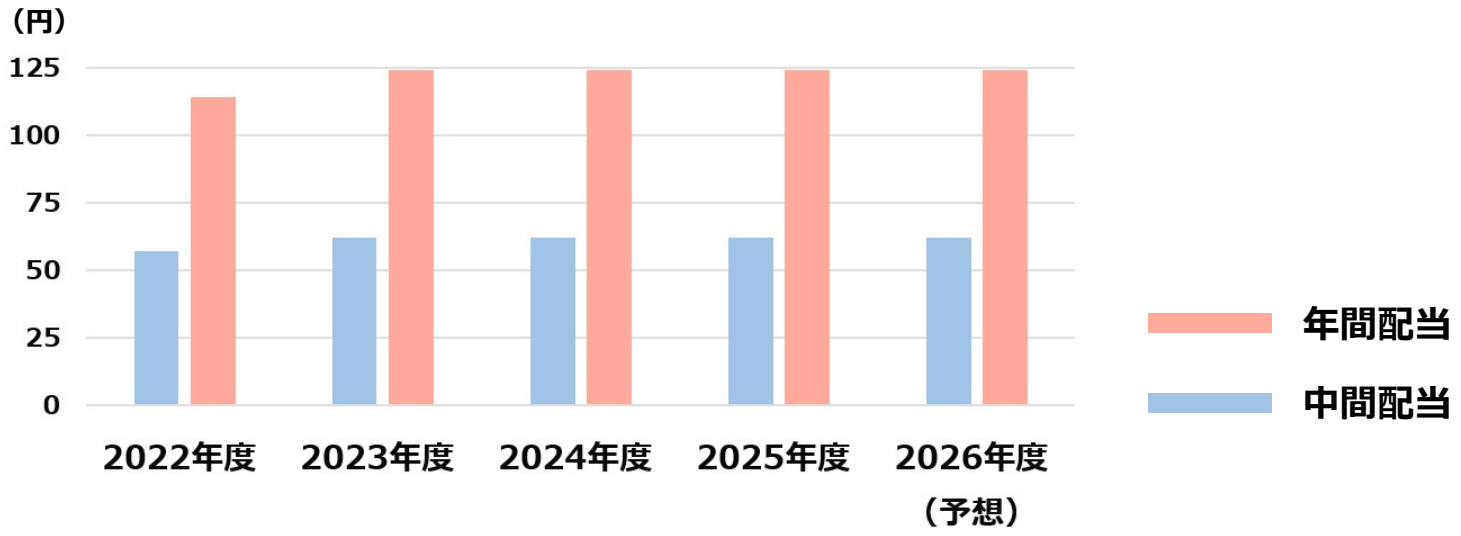
2025年度Q2 実績	2026年度Q2 実績	2026年度 下期予想
146.04	159.37	150.00

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

配当予想

・DOE（株主資本配当率）を勘案しながら安定的な配当を継続

		2025年度	2026年度
普通株式1株当たり配当金	中間配当金	62 円	62 円
	年間配当金	124 円	124 円（予想）
基本的1株当たり当期利益		441.00 円	400.46 円（予想）



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

CAP-1002（deramiocel） アップデート

CAP-1002（deramiocel）アップデート

販売契約の解除等に関する訴訟[1]

・仲裁手続において審理されることとなった

NEWS RELEASE

新しい生きるを、創る。
日本新薬

2026 年 8 月 10 日
日本新薬株式会社
広報・IR 部

各　位

CAP-1002（deramiocel）に関する米国訴訟について
－ 米国裁判所が仮処分命令申立てを却下し、本件紛争を仲裁手続に付託 －

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井亨、以下「当社」）は、2026 年 5 月 8 日付当社ニュースリリース「当社に対する訴訟の提起に関するお知らせ」において公表しましたとおり、Capricor Therapeutics, Inc.（本社：米国カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor 社」）から CAP-1002（deramiocel）について、米国における販売契約の解除等を求める訴訟を、米国ニュージャージー州の裁判所に提起されております。

今般、本件訴訟に関し、Capricor 社から同裁判所に対して仮処分命令申立ての取下げおよび当社の仲裁付託申立てに対する異議申立ての取下げが行われました。これを受け、同裁判所は Capricor 社による仮処分命令申立てを却下し、当社の仲裁付託申立てを認めて本件紛争を仲裁手続に付する決定を行いましたのでお知らせいたします。

今回の裁判所の決定により、本件紛争は、今後、販売契約の仲裁条項に則って仲裁手続において審理されることとなります。

今後開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

以上

生物製剤承認申請（BLA）[2]

・PDUFA dateが米国時間11月22日に延長された

NEWS RELEASE

新しい生きるを、創る。
日本新薬

2026 年 8 月 25 日
日本新薬株式会社
広報・IR 部

各　位

CAP-1002（deramiocel）：BLA 審査継続に伴う PDUFA date の延長に関するお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨）は、Capricor Therapeutics, Inc.（本社：米国カリフォルニア州サンディエゴ、最高経営責任者：Linda Marbán、以下「Capricor社」）が米国で生物製剤承認申請（BLA）を行っているCAP-1002（deramiocel）について、米国食品医薬品局（FDA）による審査終了目標日（PDUFA date）が2026年8月22日から2026年11月22日へ延長されたことをお知らせします。

Capricor社はFDAとの協議を踏まえ、BLAに関する追加データおよび解析結果（BLA amendment）を提出しました。当該資料はFDAにより、重要な申請内容の変更（Major Amendment）として受理されました。

以上

1. 2026年8月10日会社プレスリリース
   CAP-1002（deramiocel）に関する米国訴訟について - 米国裁判所が仮処分命令申立てを却下し、本件紛争を仲裁手続に付託 –
2. 2026年8月25日会社プレスリリース
   CAP-1002（deramiocel）：BLA 審査継続に伴う PDUFA date の延長に関するお知らせ

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

成長と収益性向上に向けた取り組み

成長と収益性向上に向けた取り組み

医薬品事業戦略

自社創薬・導入・PLCMの3本柱により年平均2品目以上新製品を上市し、パテントクリフへの対応を優先

研究開発資源の最適配分

― 優先順位の明確化と重点品目への資源集中 ―



有望なパイプラインに経営資源を集中し、研究開発費をコントロールしながら最大の価値創出を目指す

- 各開発プログラムを総合的に評価し、優先順位を検討

戦略的アライアンス

― 外部連携を通じた成長機会の獲得 ―



国内外のパートナーとの導入・導出等の戦略的連携により、新たな成長ドライバーを継続的に獲得

- 新たな開発品を導入し、開発パイプラインを拡充
- 早期の収益貢献が期待できる品目の獲得を継続

収益構造改革

― 売上成長とコスト最適化の両面から収益力を強化 ―



持続的な成長を支える収益構造への転換を進め、企業価値の向上を目指す

- 全社的に売上・費用構造を検証し、構造改革プランの具体化を推進

研究開発パイプラインの進展

取締役 研究開発担当　**桑野 敬市**

研究開発パイプラインの進展（1/2）

基本方針：「難病・希少疾患を中心に、早期の収益貢献が見込める品目を優先する」

研究開発資源の最適配分

グローバル - グローバル展開を加速し、成長機会の拡大を図る -

自社創薬　導出入　PLCM

難・希　難病・希少疾患

開発品	適応症	開発ステージ	
自社創薬 NS-089 難・希	DMD	PⅠ → PⅡ → 申請	目標症例の組み入れ完了 2027年2月にPⅡ試験終了予定
自社創薬 NS-050 難・希	DMD	PⅠ/Ⅱ → 申請	Part1（用量漸増パート）の 症例組み入れ完了
自社創薬 NS-863 難・希	PAH PH-ILD	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請 PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請	患者さんの同意取得済 まもなく最初の患者さんへの投与開始予定
自社創薬 NS-229 難・希	EGPA	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請	まもなくPⅡ試験終了予定 2026年度中にトップラインデータが得られる予定
自社創薬 NS-245 難・希	炎症性疾患	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請	2026年度中にPⅠ試験終了予定

DMD：デュシェンヌ型筋ジストロフィー、 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、 EGPA：好酸球性多発血管炎性肉芽腫症

研究開発パイプラインの進展（2/2）

研究開発資源の最適配分

国内 - 開発後期にあり、成功確率が高く、早期に収益貢献が見込める品目に注力 -

自社創薬　導出入　PLCM

難・希　難病・希少疾患

開発品	適応症	開発ステージ	
自社創薬 NS-035 難・希	FCMD	PⅠ → PⅡ → 申請	PⅡ試験を8月に開始 予定症例の半数以上は組み入れ完了
自社創薬 PLCM NS-304	ASO	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請	PⅢ試験　症例組み入れは順調に推移
自社創薬 NS-580	子宮内膜症 CP/CPPS	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請 PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請	子宮内膜症：PⅢ試験の開始予定 CP/CPPS：PⅡb試験の開始予定

戦略的アライアンス

- 導入・導出等の戦略的提携により、継続的に利益を確保 -

導入 MT-2111 難・希	r/r DLBCL	PⅠ/Ⅱ → PⅢ → 申請	国内における独占的販売
導入 Tadekinig alfa 難・希	NLRC4異常症 XIAP欠損症	PⅠ → PⅡ → PⅢ → 申請準備中	米国における独占的商業化権
導入 PLCM ピルトブルチニブ 難・希	MCL CLL	PⅠ/Ⅱ → PⅢ → 申請 PⅠ/Ⅱ → PⅢ → 申請	国内におけるアライアンス契約
導出 NS-025 難・希	シェーグレン病に伴う口腔乾燥症	PⅠ → PⅡ準備中 → PⅢ → 申請	全世界における独占的な開発・製造・販売に関するライセンス契約

FCMD: 福山型先天性筋ジストロフィー、 ASO: 閉塞性動脈硬化症、 CP/CPPS： 慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群、 r/r DLBCL: 再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫
MCL:マントル細胞リンパ腫、 CLL：慢性リンパ性白血病

ビルテプソの動向

ビルテプソ　本承認にむけて

＜臨床試験＞

・グローバル第Ⅲ相試験（301試験）**承認条件として実施が求められている検証試験**

結果：
・主要評価項目である床からの立ち上がり時間（TTSTAND）および副次評価項目（10m歩行時間、4段階段昇降時間、6分間歩行距離、NSAA）において、ビルトラルセン投与群とプラセボ投与群に統計的な有意差は認められなかった。

・グローバル第Ⅲ相継続試験（302試験）**301試験を完了した患者さんを対象**

結果：
・有効性の評価項目の一つである床からの立ち上がり時間（TTSTAND）のベースラインからの変化量は、自然歴群と比較して25週目以降で統計的に有意な改善を示した。

＜FDAとの協議＞

FDAに提出していた追加グローバル第Ⅲ相試験（303試験）のプロトコルについて、2026年6月下旬にFDAよりType-Cミーティングの開催を推奨する連絡を受けた。
Type-Cミーティングに向け、FDAとの協議方針および最適な実施時期を検討中。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

参考資料

医薬品売上収益および予想の内訳

*前回予想は、2026年8月6日
2026年度第1四半期決算発表

- **CAP-1002（deramiocel）を売上予想から除外**

業績予想における2026年度下期の為替レートは1USD=150円を想定。
2026年度下期の為替感応度は、1円の円安で売上収益が約2.3億円増加を想定　**（百万円）**

製品名 / 開発記号	適応症	2025年度Q2 実績	2026年度Q2 実績	差異	増減率	2026年度 前回予想*	2026年度 今回修正予	差異	増減率
ビルテプソ		10,349	11,352	+1,002	+9.7%	22,300	21,900	-400	-1.8%
（内．日本）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	(2,386)	(2,513)	(+126)	(+5.3%)	(4,800)	(4,900)	100	+2.1%
（内．米国）		(7,963)	(8,839)	(+875)	(+11.0%)	(17,500)	(17,000)	(-500)	(-2.9%)
ウプトラビ	肺動脈性肺高血圧症 慢性血栓塞栓性肺高血圧症	8,448	9,794	+1,345	+15.9%	19,200	19,700	+500	+2.6%
アーリーダ	前立腺癌	-	7,059	-	-	14,400	14,300	-100	-0.7%
ビキセオス	高リスク急性骨髄性白血病	2,941	2,832	-108	-3.7%	6,500	6,200	-300	-4.6%
ガザイバ	CD20陽性の濾胞性リンパ腫 CD20陽性の慢性リンパ性白血病	2,451	2,717	+265	+10.8%	5,100	5,100	-	-
フィンテプラ	ドラベ症候群に伴うてんかん発作 レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作	1,765	2,707	+941	+53.3%	6,100	6,100	-	-
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群	1,252	1,237	-14	-1.2%	2,600	2,500	-100	-3.8%
シアリス	勃起不全（ED）	1,119	999	-120	-10.7%	2,000	2,000	-	-
CAP-1002 （deramiocel、米国）	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	-	-	-	-	11,400	-	-	-
共同販促収入		4,792	4,354	-437	-9.1%	8,600	8,600	-	-
工業所有権等収益		24,181	28,267	+4,086	+16.9%	53,000	54,000	+1,000	+1.9%
ビルテプソ輸出		30	3,147	+3,117	+10379.6%	-	4,500	-	-
医薬品合計		68,561	85,512	+16,950	+24.7%	176,500	166,500	-10,000	-5.7%
（薬価ベース）									
ジャイパーカ	マントル細胞リンパ腫 慢性リンパ性白血病	1,086	2,209	+1,122	+103.2%	ジャイパーカの2026年度予想については非開示			

機能食品売上収益および予想の内訳

- プロテイン製剤は上期で価格転嫁等の影響もあり計画を上回って進捗したため、売上予想を上方修正

（百万円）	2025年度 Q2実績	2026年度 Q2実績	差異	増減率	今回予想 前回*	今回予想 今回修正	差異	増減率
プロテイン製剤	6,862	7,694	+831	+12.1%	14,200	15,400	+1,200	+8.5%
品質安定保存剤	1,624	1,687	+63	+3.9%	3,400	3,400	-	-
サプリメント	1,309	1,770	+461	+35.2%	3,400	3,400	-	-
健康食品素材	621	513	-108	-17.4%	1,250	1,100	-150	-12.0%
その他	668	652	-16	-2.5%	1,250	1,200	-50	-4.0%
機能食品合計	11,086	12,318	+1,231	+11.1%	23,500	24,500	+1,000	+4.3%

*前回予想は、2026年8月6日 2026年度第1四半期決算発表

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

財政状況

（百万円）	2025年度 前会計年度末	2026年度 当中間会計期間末	差異		2025年度 前会計年度末	2026年度 当中間会計期間末	差異
資産	346,359	335,890	-10,468	負債	54,488	45,142	-9,345
（流動資産）	183,086	184,083	+997	（流動負債）	42,105	38,447	-3,658
（非流動資産）	163,272	151,806	-11,466	（非流動負債）	12,382	6,695	-5,687
				資本	291,871	290,747	-1,123
合　計	346,359	335,890	-10,468	合　計	346,359	335,890	-10,468

＝ 資産の部 ＝

現金及び現金同等物	-3,742
営業債権及びその他の債権	+2,304
無形資産	+5,747
その他の金融資産（非流動）	-18,643

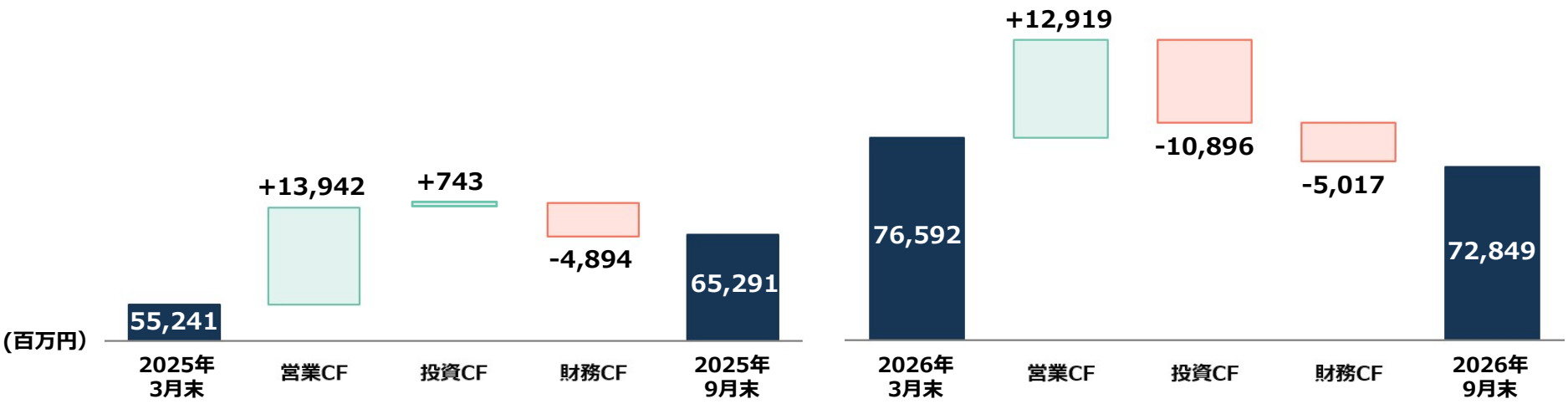
＝ 負債･資本の部 ＝

未払法人所得税	-2,722
繰延税金負債	-5,610
利益剰余金	+11,470
その他の資本の構成要素	-12,635

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

キャッシュフローの状況

（百万円）	2025年度Q2 実績 (4-9月)	2026年度Q2 実績 (4-9月)	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	13,942	12,919	-1,022
投資活動によるキャッシュ・フロー	743	-10,896	-11,639
財務活動によるキャッシュ・フロー	-4,894	-5,017	-123
現金及び現金同等物の期末残高	65,291	72,849	+7,558



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

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（2026年8月6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（対象国･地域）
発売	NS-304（セレキシパグ）	ウプトラビ	ウプトラビ錠0.8mg	2026年5月
発売	NS-401（タグラキソフスプ）	エルゾンリス	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2026年3月
PⅢ試験	NS-065/NCNP-01(ビルトラルセン)	ビルテプソ	グローバル第三相継続試験の治験総括報告書（CSR）を米国食品医薬品局（FDA）に提出	2026年7月（米国）
適応追加	ACT-064992（マシテンタン）	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	2025年12月
申請中	MT-2111 （ロンカスツキシマブテシリン）	ー	再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症として、製造販売承認申請	2026年10月
申請準備中	RGX-121 （clemidsogene lanparvovec）	ー	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	2026年8月（米国）
			FDAと生物製剤承認申請（BLA）再提出の進め方について合意	2026年6月（米国）
申請中	CAP-1002（deramiocel）	ー	適応をデュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症から、デュシェンヌ型筋ジストロフィーに変更 FDAによる審査終了目標日（PDUFA date）が2026年11月22日（米国時間）へ延長された	2026年8月（米国）
			FDAによる諮問委員会（Advisory Committee）が開催された	2026年7月（米国）
申請中	GA101（オビヌツズマブ）	ガザイバ	特発性ネフローゼ症候群	2026年5月
電子添文改訂			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可能に	2025年11月
PⅢ試験開始	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	フィンテプラ	レット症候群	2026年10月
PⅢ試験開始	NS-304（セレキシパグ）	ー	閉塞性動脈硬化症	2026年4月
PⅡ試験開始	NS-035	ー	福山型先天性筋ジストロフィー（FCMD）	2026年8月
PⅡ試験準備中	NS-863	ー	肺動脈性肺高血圧症	2026年3月
			間質性肺疾患に伴う肺高血圧症	2026年3月
	NS-025	ー	泌尿器疾患	2026年7月
			シェーグレン病に伴う口腔乾燥症	2026年7月
PⅠ試験開始	NS-245	ー	炎症性疾患	2025年12月

NIPPON SHINYAKU CO LTD

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（2026年8月6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（対象国・地域）
ライセンス契約締結 （田辺ファーマ）	MT-2111 （ロンカスツキシマブテシリン）	ー	再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 日本における独占的販売に関するサブライセンス契約を締結	2026年10月
オプション権の行使 （エービーツーバイオ社）	Tadekinig alfa （タデキニグ アルファ）	ー	NLRC4異常症/XIAP欠損症 米国における独占的な商業化に関する権利を取得	2026年7月（米国）
オプション契約締結 （エリクサジェン社）	EXG-7001	ー	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD） 全世界における独占的な開発および商業化権利に関するオプション契約を締結	2026年6月
ライセンス契約締結 （アクエリス社）	NS-025	ー	日本国内における一部適応症を除き、全世界における独占的な開発・製造・販売の権利を供与するライセンス契約を締結[1]	2026年7月
研究提携 （ボストン小児病院）	ー	ー	神経領域の革新的な治療薬の開発を目的として、共同研究契約を締結	2026年6月（米国）
共同研究契約	ー	ー	株式会社イクスフォレストセラピューティクスとRNA構造を標的とした創薬研究に関する契約を締結	2026年3月
共創プロジェクト	ー	ー	株式会社FRONTEO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	2025年12月
先駆的医薬品指定	NS-035	ー	福山型先天性筋ジストロフィー（FCMD）	2026年8月
希少疾病用医薬品指定				2026年6月
学会発表	NS-089/NCNP-02 （ブロギジルセン）	ー	世界筋学会における投与5年までの結果発表	2026年10月

1．アクエリス社はシェーグレン病に伴う口腔乾燥症を対象とした臨床試験を予定

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

パイプライン（1/2）

※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

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 追加PⅢ検討中	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	―
				―	米国	―
申請中 PⅢ	CAP-1002 （deramiocel）	提携 ｶﾌﾟﾘｺｰﾙ・ｾﾗﾋﾟｭｰﾃｨｸｽ社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	審査終了目標：2026年11月	米国	NCT03406780[1] NCT05126758[2]
申請中	GA101 （オビヌツズマブ）	導入 中外製薬株式会社	特発性ネフローゼ症候群	申請：2026年5月	日本	NCT05627557
申請中	ＭＴ-２１１１ （ロンカスツキシマブテシリン）	ｴｰﾃﾞｨｰｼｰ・ｾﾗﾋﾟｭｰﾃｨｸｽ社 （開発：田辺ファーマ株式会社）	再発または難治性びまん性 大細胞型B細胞リンパ腫	申請：2026年10月	日本	NCT05658562
申請準備中	Tadekinig alfa （タデキニグ アルファ）	導入 ｴｰﾋﾞｰｻｰﾊﾞｲｵ社	NLRC4異常症/XIAP欠損症	―	米国	NCT03113760
申請準備中	RGX-121 （clemidsogene lanparvovec）	提携 ﾘｼﾞｪﾈｸｽﾊﾞｲｵ社	ムコ多糖症Ⅱ型	臨床試験の実施保留中[3]	米国	NCT03566043
PⅢ	ZX008 （フェンフルラミン塩酸塩）	導入 ｺｰｼｰﾋﾞｰ社	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本	jRCT2041230015
	GA101 （オビヌツズマブ）	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
			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
	LY3527727 （ピルトブルチニブ）	アライアンス 日本ｲｰﾗｲﾘｰ株式会社	マントル細胞リンパ腫	―	日本	jRCT2021210026
			慢性リンパ性白血病	―	日本	jRCT2011210061 jRCT2041210150 jRCT2021220024
	NS-304 （セレキシパグ）	自社	閉塞性動脈硬化症	試験開始：2026年度	日本	jRCT2071250134
	ZX008 （フェンフルラミン塩酸塩）	導入 ｺｰｼｰﾋﾞｰ社	レット症候群	試験開始：2026年度	日本	jRCT2031260136

1.第Ⅱ相試験（HOPE-2試験） 2.第Ⅲ相試験（HOPE-3試験） 3.2026年8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

NIPPON SHINYAKU CO.,LTD.

パイプライン（2/2）

※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

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
PⅡ	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（ブロギジルセン）	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
	NS-035	共同 神戸大学	福山型先天性筋ジストロフィー	試験開始：2026年度	日本	jRCT2031250857
PⅡ準備中	NS-863	自社	肺動脈性肺高血圧症	試験開始：2026年度	日本	jRCT2031260222
					米国	NCT07441200
			間質性肺疾患に伴う肺高血圧症		日本	jRCT2031260223
					米国	NCT07441278
	NS-025	自社	泌尿器疾患	—	日本	準備中
			シェーグレン病に伴う口腔乾燥症	—	日本/米国	準備中
PⅠ/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：2028年度	日本	jRCT2041240060
					米国	NCT06053814
	ATSN-101	導入 ｱﾄｾﾅ・ｾﾗﾋﾟｭｰﾃｨｸｽ社	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	NCT03920007
	RGX-111	提携 ﾘｼﾞｪﾈｸｽﾊﾞｲｵ社	ムコ多糖症Ⅰ型	臨床試験の実施保留中[1]	米国	NCT03580083
PⅠ	NS-917 (radgocitabine)	導入 ﾃﾞﾙﾀﾌﾗｲﾌｧｰﾏ株式会社	再発・難治性急性骨髄性白血病	試験終了：2026年度	日本	jRCT2031210452
	NS-245	自社	炎症性疾患	試験終了：2026年度	日本	jRCT2071250086

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

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-０６５／ＮＣＮＰ-０１ （ビルトラルセン）

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	国内 発売 米国 発売 追加グローバルPⅢ試験検討中
オリジン事業形態	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）との共同研究
開発形態	自社
作用機序	エクソン53スキッピング
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）
剤形	注射剤
特徴	欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化

参考情報： DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン53スキッピング適応患者は、DMD患者の約8%。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＣＡＰ-１００２ (deramiocel)

– デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 –

開発段階	米国 申請中 米国 PⅢ継続投与試験
オリジン 事業形態	カプリコール･セラピューティクス社（米国） 米国：2022/1 提携契約 日本：2023/2 提携契約
開発形態	カプリコール社が実施
作用機序	心筋由来細胞によるエクソソーム放出
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）
剤形	注射剤
特徴	本剤から分泌されるエクソソームによる、酸化ストレス･炎症･線維化の低減、細胞エネルギーや筋細胞の生成の増加により、運動機能や心機能を改善することが期待される 遺伝子変異の種類に依らず、幅広い患者層が対象となる

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

MT－２１１１（ロンカスツキシマブテシリン）

－ 再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫治療剤 －

開発段階	申請中
オリジン 事業形態	エーディーシー・セラピューティクス社（スイス） 日本：田辺ファーマとの独占的販売に関するサブライセンス契約
開発形態	日本：田辺ファーマが実施
作用機序	抗CD19モノクローナル抗体・薬物複合体（ADC）
適応症	再発または難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫
剤形	注射剤
特徴	ファーストインクラスのCD19標的の抗体・薬物複合体

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＲＧＸ-１２１（clemidsogene lanparvovec）

－ ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 －

開発段階	米国 再申請準備中
オリジン 事業形態	リジェネクスバイオ社（米国） 米国：2025/1 提携契約 日本を含むアジア：2025/1 提携契約
開発形態	リジェネクスバイオ社が実施
作用機序	イズロン酸-2-スルファターゼ遺伝子治療剤
適応症	ムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ）
剤形	注射剤
特徴	AAV9ベクターにイズロン酸-2-スルファターゼ（IDS）遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDS遺伝子を送達し、IDSを産生させる 1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られることが期待される

参考情報：ムコ多糖症（MPS）の日本および米国の10 万人当たり有病率は、MPS全体が1.53および1.2、MPS IIが0.84および0.29、MPS Ⅰが0.23および0.34
Epidemiology of Mucopolysaccharidoses Update - PMC

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＧＡ１０１（オビヌツズマブ）

– 特発性ネフローゼ症候群治療剤、ループス腎炎治療剤、腎症を伴わない全身性エリテマトーデス治療剤 –

開発段階	〈特発性ネフローゼ症候群〉 申請中 〈ループス腎炎〉 国内PⅢ試験 〈腎症を伴わない全身性エリテマトーデス〉 国内PⅢ試験
オリジン 事業形態	中外製薬株式会社 日本：2012/11 導入契約
開発形態	中外製薬株式会社と共同開発
作用機序	抗CD20モノクローナル抗体
適応症	特発性ネフローゼ症候群（INS）、ループス腎炎（LN）、 腎症を伴わない全身性エリテマトーデス
剤形	注射剤
特徴	速やかかつ確実なB細胞殺傷効果が期待される

参考情報：日本における推定患者数は、特発性ネフローゼ症候群が約14,000人程度、ループス腎炎が約30,000人、腎症を伴わない全身性エリテマトーデスが約10,000人程度とされている。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

タデキニグアルファ（Tadekinig alfa）

– NLRC4異常症/XIAP欠損症治療剤 –

開発段階	米国 申請準備中
オリジン 事業形態	エービーツーバイオ社（スイス） 米国　2025/1 独占的商業化権に関するオプション契約締結 米国　2026/7 オプション権行使
開発形態	エービーツーバイオ社が実施
作用機序	遺伝子組み換えヒトインターロイキン18（IL-18）結合タンパク質製剤
適応症	NLRC4異常症/XIAP欠損症
剤形	注射剤（皮下投与）
特徴	過剰に産生されたIL-18に特異的に結合することで、IL-18に関連する免疫・炎症反応を抑制する。 本剤が承認されればNLRC4異常症/XIAP欠損症に対する初の特異的な治療薬となる。

参考情報：正確な学は不明であるが、文献等によるとNLRC4異常症/XIAP欠損症患者の推定有病率は、合わせて100万人あたり約3～5人ほどと推定される。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＺＸ００８ （フェンフルラミン塩酸塩）

－ 難治てんかん治療剤 －

開発段階	〈ドラベ症候群〉 発売 〈レノックス・ガストー症候群〉 発売 〈CDKL5欠損症〉 グローバルPⅢ試験 〈レット症候群〉 グローバルPⅢ試験
オリジン 事業形態	ユーシービー社（旧ゾジェニックス社） 日本：2019/3 導入契約
開発形態	ユーシービージャパン株式会社が開発
作用機序	セロトニン放出を介した複数の5-HT受容体サブタイプの活性化作用
適応症	ドラベ症候群（DS）、レノックス・ガストー症候群（LGS）、 CDKL5欠損症（CDD）、レット症候群（RTT）
剤形	経口液剤
特徴	既存治療に不応な難治例に有効 他剤との併用が可能（難治てんかんの治療は薬剤併用を基本とする）

参考情報：日本における推定患者数は、ドラベ症候群が約3,000人、レノックス・ガストー症候群が約4,300人とされている。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＬＹ３５２７７２７(ピルトブルチニブ)

－ マントル細胞リンパ腫治療剤、慢性リンパ性白血病治療剤 －

開発段階	〈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トル細胞リンパ腫〉 発売 〈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〉 発売 〈マントル細胞リンパ腫〉〈慢性リンパ性白血病〉 グローバルPⅢ試験
オリジン事業形態	日本イーライリリー株式会社 日本：2024/3 アライアンス契約
開発形態	日本イーライリリー株式会社が開発
作用機序	可逆的非共有結合型BTK阻害剤
適応症	マントル細胞リンパ腫（MCL）、慢性リンパ性白血病（CLL）
剤形	経口剤
特徴	新規の結合機序を有しブルトン型チロシンキナーゼ（BTK）に高い選択性を示す

参考情報： MCLの発症は、毎年、世界中の約20万人に1人とされている。CLLの国内総患者数は、政府統計 令和5年度患者調査によると、7,000人と推定される。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-３０４ （セレキシパグ）

― 閉塞性動脈硬化症治療剤 ―

開発段階	国内PⅢ試験
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	選択的プロスタサイクリン（IP）受容体アゴニスト
適応症	閉塞性動脈硬化症（ASO）
剤形	経口剤
特徴	長時間作用型経口剤

参考情報：日本における閉塞性動脈硬化症（ASO）の間歇性跛行患者数は約64～93万人と推定されている。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-５８０（friluglanstat）

－ 子宮内膜症治療剤、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群治療剤 －

開発段階	〈子宮内膜症〉 国内ＰⅡb試験　一時中断 〈慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群〉 国内ＰⅡa試験　一時中断
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	膜結合型プロスタグランジンE合成酵素-1（mPGES-1）阻害
適応症	子宮内膜症、慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群
剤形	経口剤
特徴	ホルモン作用のない子宮内膜症治療剤で鎮痛効果と病巣の改善効果が期待される 安全性の高い慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群治療剤として長期の疼痛コントロールが期待される

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-０８９／ＮＣＮＰ-０２（ブロギジルセン）

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	グローバルＰⅡ試験
オリジン事業形態	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）との共同研究
開発形態	自社
作用機序	エクソン44スキッピング
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）
剤形	注射剤
特徴	欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化

参考情報： DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500 ～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン44スキッピング適応患者は、DMD患者の約6%。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-２２９

－ 好酸球性多発血管炎性肉芽腫症治療剤 －

開発段階	グローバルＰⅡ試験
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	JAK１阻害
適応症	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症（EGPA）
剤形	経口剤
特徴	強力なJAK１阻害作用を有する JAK１選択性の高さに基づき、高い有効性と安全性が期待される

参考情報：好酸球性多発血管炎性肉芽腫症（EGPA）の2025年度特定医療費（指定難病）受給者証 所持者数は9,899例

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-０３５

－ 福山型先天性筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	ＰⅡ試験
オリジン	日本新薬と国立大学法人 神戸大学との共同研究
開発形態 事業形態	自社
作用機序	エクソン・トラッピング阻害
適応症	福山型先天性筋ジストロフィー（FCMD）
剤形	注射剤
特徴	正常なフクチンの産生を回復させることにより、筋機能改善効果が期待される核酸医薬品である 福山型先天性筋ジストロフィーは日本人に特に多い遺伝性疾患である。本疾患を対象とした既承認薬は存在せず、世界初の根本的治療薬となることが期待される

参考情報：福山型先天性筋ジストロフィーは日本人に特に多い遺伝性疾患。推定患者数は国内1,000～2,000人

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-８６３

－肺動脈性肺高血圧症/間質性肺疾患に伴う肺高血圧症 治療剤－

開発段階	〈肺動脈性肺高血圧症〉 グローバルＰⅡ試験準備中 〈間質性肺疾患に伴う肺高血圧症〉 グローバルＰⅡ試験準備中
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	PDGFR阻害
適応症	肺動脈性肺高血圧症（PAH） 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症（PH-ILD）
剤形	経口剤
特徴	PDGFRに対し高い選択性を有するキナーゼ阻害剤 血管拡張薬とは異なり、肺血管の閉塞を改善する肺高血圧症治療剤である。経口投与可能なため利便性の高い新規作用機序の肺高血圧症治療剤となることが期待される。

参考情報：肺動脈性肺高血圧症の2025年度特定医療費（指定難病）受給者証 所持者数は5,277例と報告されている

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-０２５

開発段階	PII試験準備中
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	ムスカリンM3ポジティブアロステリックモジュレーター
適応症	泌尿器疾患
剤形	経口剤

開発段階	グローバルPII試験準備中
オリジン事業形態	自社 2026/7：アクエリス社（米国）に対し、日本国内における一部適応症を除き、全世界における独占的な開発・製造・販売の権利を供与するライセンス契約を締結
開発形態	アクエリス社が開発
作用機序	ムスカリンM3ポジティブアロステリックモジュレーター
適応症	シェーグレン病に伴う口腔乾燥症
剤形	経口剤

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-０５０／ＮＣＮＰ-０３

－ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤 －

開発段階	グローバルＰⅠ/Ⅱ試験
オリジン 事業形態	日本新薬と国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター（NCNP）との共同研究
開発形態	自社
作用機序	エクソン50スキッピング
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）
剤形	注射剤
特徴	欠損したジストロフィンの産生を回復させて疾患の進行抑制と病態改善を期待 高い安全性が示唆されるモルフォリノ核酸をベースに活性を最大化

参考情報： DMDは男児3,500～5,000人に1人の割合で発症。推定患者数は国内3,500人、米国12,500～15,000人、欧州（英仏独）7,000人、中国53,000人。
うち、エクソン50スキッピング適応患者は、DMD患者の約4%。

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＡＴＳＮ-１０１

－GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障治療剤 －

開発段階	米国ＰⅠ/Ⅱ試験
オリジン 事業形態	アトセナ･セラピューティクス社（米国） 米国：2024/11 導入契約 日本：2024/11 導入契約
開発形態	アトセナ社が実施
作用機序	GUCY2D 遺伝子治療剤
適　応　症	GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障（LCA1）
剤　　形	注射剤
特　　徴	ヒトGUCY2D遺伝子をAAV5ベクターに組み込んだ遺伝子治療剤であり、網膜下に投与することで正常なGUCY2D遺伝子を発現させ、光受容体の機能を回復させる 本剤が承認されればLCA１に対する初の特異的かつ根本的な治療薬となる

参考情報： LCA（レーバー先天性黒内障）の推定患者数は約1万人前後（日本）、5万人弱（米国）。GUCY2D 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障はLCAの最も一般的な型のひとつで、LCAのおよそ1割程度を占めると推定される

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＲＧＸ-１１１

－ ムコ多糖症Ⅰ型治療剤 －

開発段階	グローバルPⅠ/Ⅱ試験
オリジン 事業形態	リジェネクスバイオ社（米国） 米国：2025/1 提携契約 日本を含むアジア：2025/1 提携契約
開発形態	リジェネクスバイオ社が実施
作用機序	α-L-イズロニダーゼ遺伝子治療剤
適応症	ムコ多糖症Ⅰ型（MPSI）
剤形	注射剤
特徴	AAV9ベクターにα-L-イズロニダーゼ（IDUA）遺伝子を組み込んだ遺伝子治療剤。脳内投与により中枢神経細胞にIDUA遺伝子を送達し、IDUAを産生させる 1回限りの投与で、中枢症状を含む全身への継続した効果が得られることが期待される

参考情報：ムコ多糖症（MPS）の日本および米国の10 万人当たり有病率は、MPS全体が1.53および1.2、MPS IIが0.84および0.29、MPS Ⅰが0.23および0.34
Epidemiology of Mucopolysaccharidoses Update - PMC

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-９１７ （radgocitabine）

－ 再発･難治性急性骨髄性白血病治療剤 －

開発段階	国内ＰＩ試験
オリジン 事業形態	デルタフライファーマ社 日本：2017/3 導入契約
開発形態	自社
作用機序	代謝拮抗剤と異なる殺細胞作用
適　応　症	再発･難治性急性骨髄性白血病（r/r AML）
剤　　形	注射剤
特　　徴	既存の代謝拮抗剤とは異なる作用メカニズム 低用量持続静注による、高い有効性と安全性を示す （高齢者にも投与可能、重篤な消化管障害等の非血液学的毒性が低い）

参考情報：日本におけるAMLの投薬患者数は約1万6千人と推定されている（ADM2019）。そのうち、再発･難治性の患者数は5割程度

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

ＮＳ-２４５

開発段階	国内ＰＩ試験
オリジン事業形態	自社
開発形態	自社
作用機序	非開示
適　応　症	炎症性疾患
剤　　形	経口剤

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.