

# 2025年度 第2四半期（中間期） 決算説明会

2025年11月14日  
日本新薬株式会社



NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

NIPPON SHINYAKU CO., LTD.

# Agenda

---

01

- 2025年度第2四半期の業績と2025年度の業績見通し
- CAP-1002 (deramiocel) アップデート
- 米国における販売準備の状況

代表取締役社長

中井 亭

02

- 研究開発の進捗状況

取締役 研究開発担当

桑野 敬市

# 2025年度第2四半期の業績と 2025年度の業績見通し

代表取締役社長 中井 亨

# ポイント

## 2025年度 第2四半期の業績

売上収益：3期連続 増収（医薬品・機能食品事業ともに増収）

営業利益：増益（増収、研究開発費、為替差損の減少）

## 2025年度の業績見通し

売上収益：20億円上方修正

営業利益：30億円上方修正（増収、販管費、研究開発費、為替差損の減少）

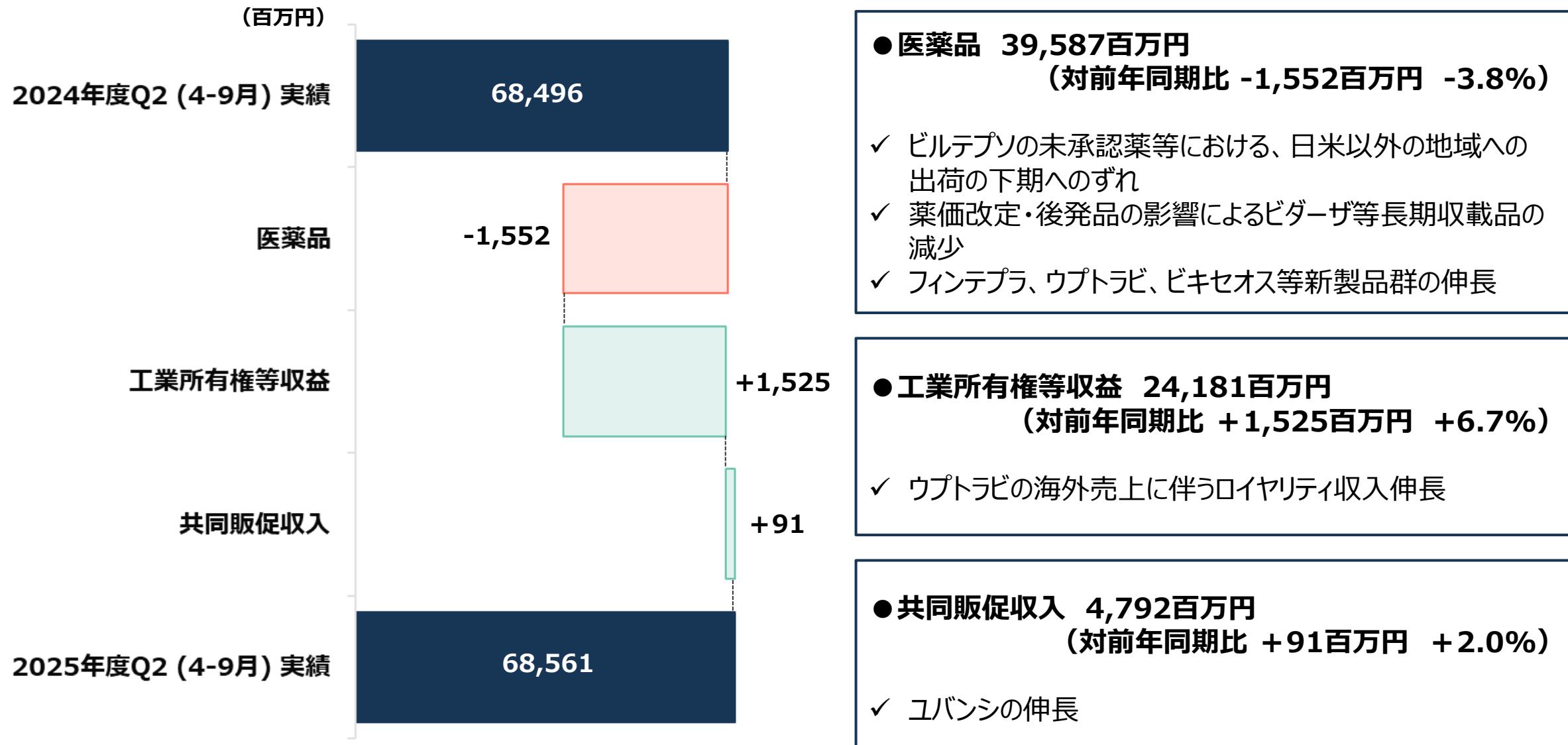
# 2025年度 Q2 (4-9月) 概要

- 医薬品・機能食品事業が共に增收、3期連続の增收
- 営業利益は増益、一方で最終利益は減益

(百万円)	2024年度Q2 (4-9月) 実績 売上比		2025年度Q2 (4-9月) 実績 売上比		差異	増減率
売上収益	79,332	100.0%	79,647	100.0%	+315	+0.4%
(医薬品)	(68,496)	(86.3%)	(68,561)	(86.1%)	(+64)	(+0.1%)
(機能食品)	(10,836)	(13.7%)	(11,086)	(13.9%)	(+250)	(+2.3%)
売上原価	24,935	31.4%	25,336	31.8%	+400	+1.6%
販売費及び一般管理費	18,031	22.7%	20,357	25.6%	+2,325	+12.9%
研究開発費	16,732	21.1%	14,637	18.4%	-2,095	-12.5%
その他の収益	455	0.6%	521	0.7%	+66	+14.7%
(為替差益)	-	-	(153)	(0.2%)	(+153)	-
その他の費用	2,219	2.9%	258	0.3%	-1,960	-88.3%
(為替差損)	(1,935)	(2.4%)	-	-	(-1,935)	-
営業利益	17,867	22.5%	19,580	24.6%	+1,712	+9.6%
金融収益	396	0.5%	550	0.7%	+153	+38.8%
金融費用	65	0.1%	101	0.2%	+35	+54.4%
税引前中間利益	18,198	22.9%	20,029	25.1%	+1,830	+10.1%
法人所得税費用等	1,825	2.3%	4,268	5.3%	+2,442	+133.8%
親会社の所有者に帰属する中間利益	16,373	20.6%	15,760	19.8%	-612	-3.7%

# 医薬品売上収益の内訳

- ・薬価改定や後発品の影響あり
- ・ウptrabi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、フィンテプラ等の売上が伸長

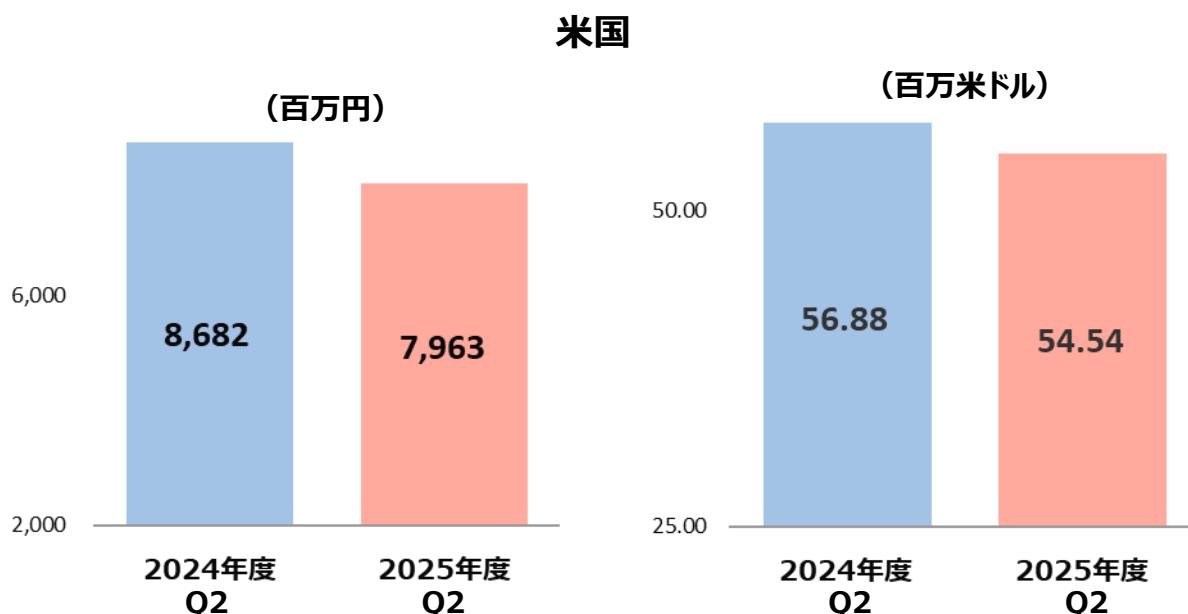
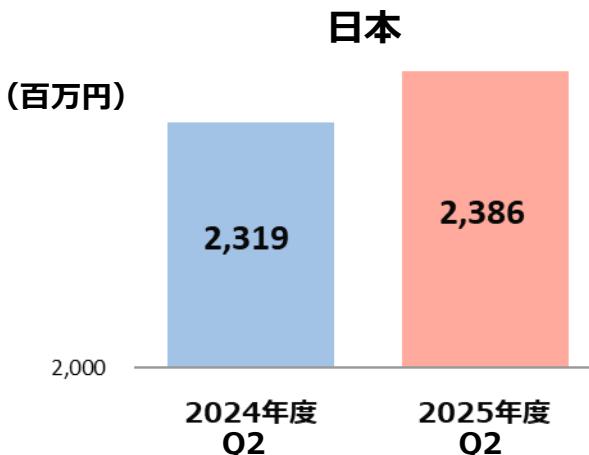


# ビルテフソの売上

- ・米国第2四半期は前年同期比減少
- ・通期売上は新規登録患者数の増加によりドルベースで微増の見込み

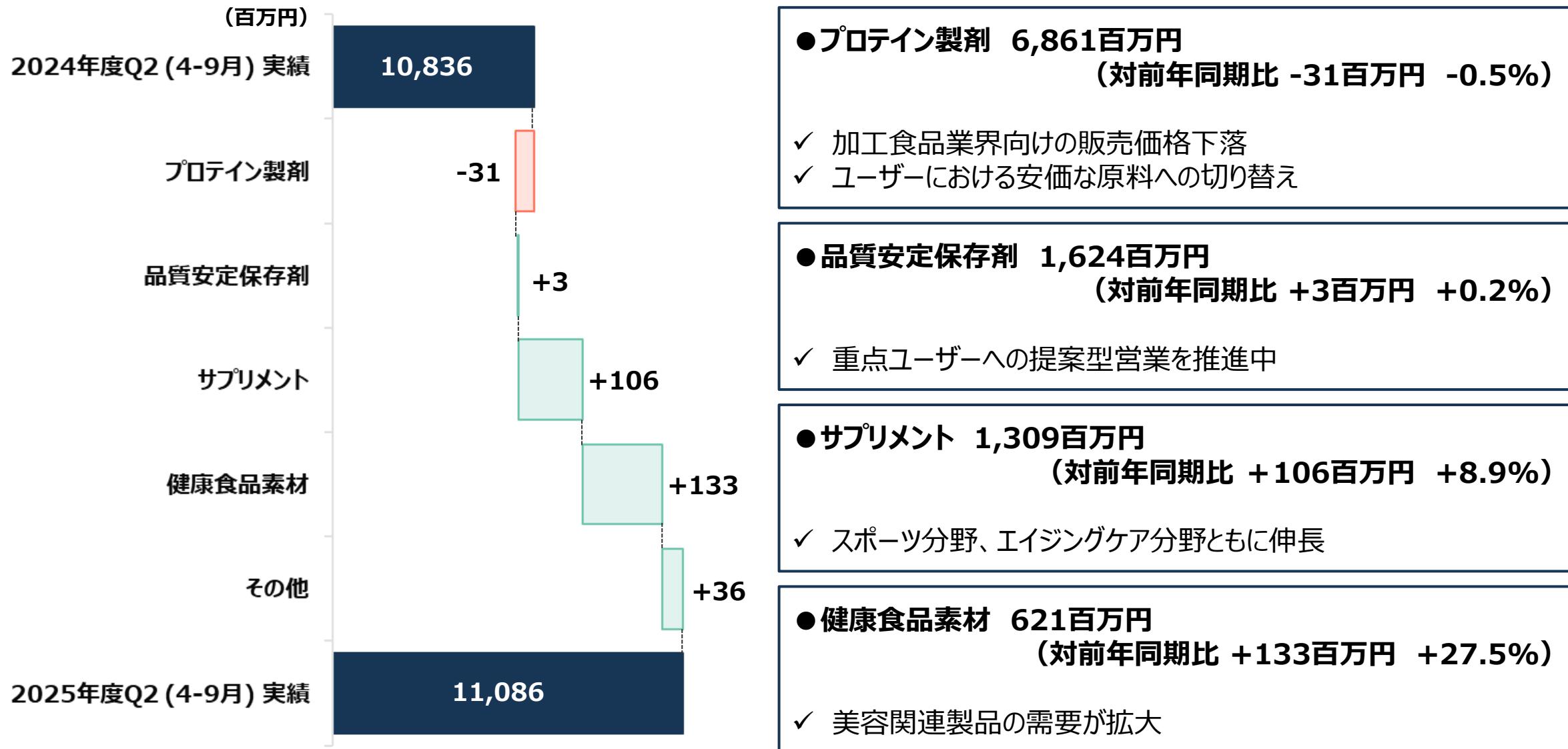
(百万円)	2024年度 Q2実績	2025年度 Q2実績	差異	増減率	2025年度 予想	2025年度Q2実績についてのコメント
日本	2,319	2,386	+66	+2.9%	4,800	✓ 現在投与中の患者数は中医協資料のピーク患者数128人の4分の3以上 ✓ 治療可能性のある20歳未満の患者把握を進めている
米国 (百万米ドル)	8,682 (56.88)	7,963 (54.54)	-718 (-2.34)	-8.3% (-4.1%)	16,300 (114.06)	✓ 複数の高額DMD治療薬が上市され、保険適応の更新審査が厳格化 ✓ 米国的新規登録患者数が増加しており、通期売上はドルベースで微増の見通し (2024年度売上実績は112.19百万米ドル)
計	11,002	10,349	-652	-5.9%	21,100	

為替レート	2024年度 Q2実績	2025年度 Q2実績	2025年度 下期予想
円 (対米ドル)	152.8	146.0	140.0



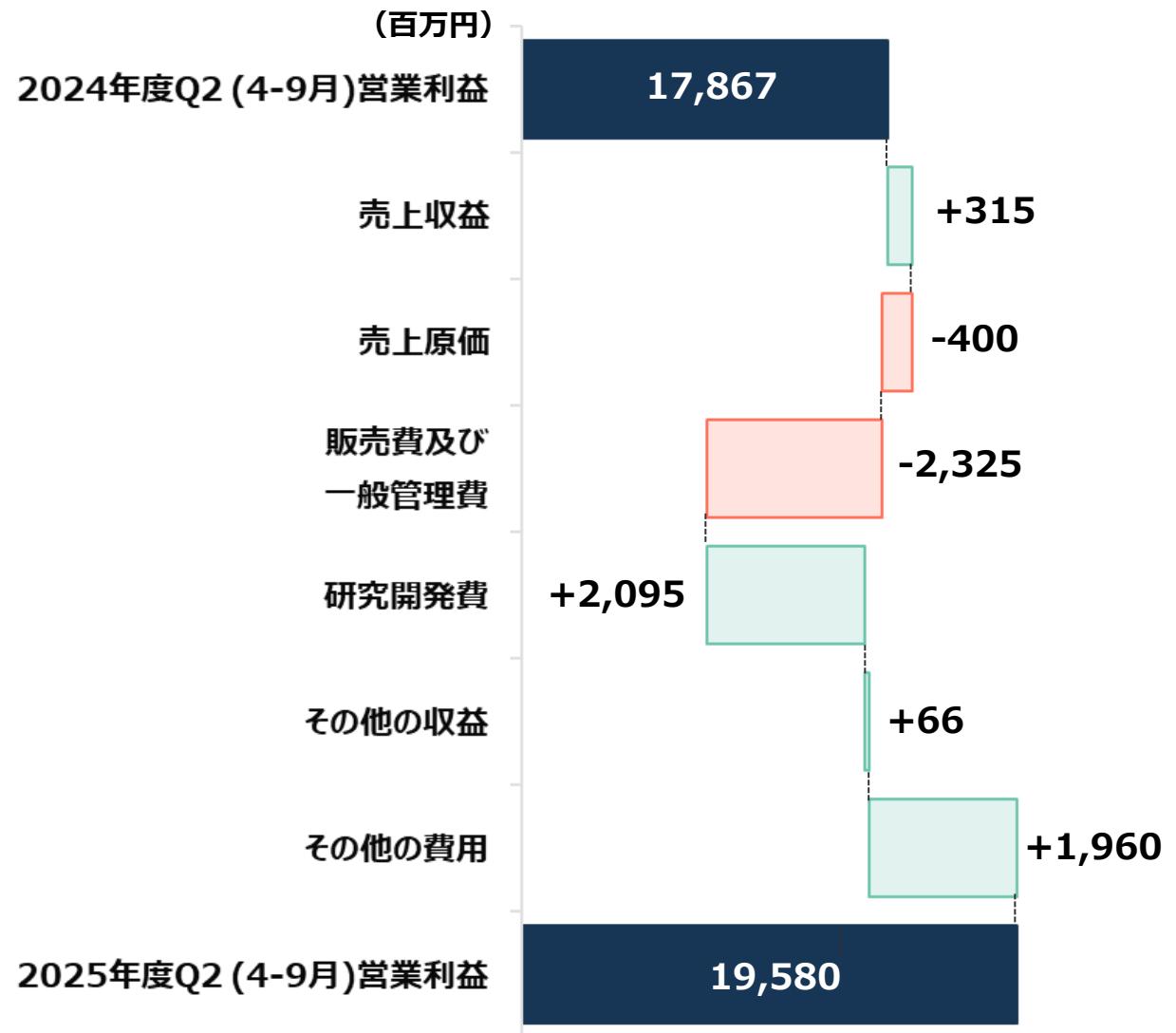
# 機能食品売上収益の内訳

- ・プロテイン製剤は厳しい市場環境により微減
- ・美容関連需要の高まりで健康食品が伸長、市場拡大を受けサプリメントも堅調



# 営業利益

- 増収に加え、研究開発費の減少と為替差損の減少が寄与し増益



● 売上収益 79,647百万円  
(対前年同期比 +315百万円 +0.4%)

- ✓ フィンテプラ、ウptrabi、ビキセオス等新製品群の売上伸長
- ✓ ウptrabi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 25,336百万円  
(対前年同期比 +400百万円 +1.6%)  
原価率 31.8% : 0.4ポイント悪化

- ✓ 売上構成、薬価改定等により原価率悪化

● 販管費 20,357百万円  
(対前年同期比 +2,325百万円 +12.9%)

- ✓ 米国子会社NS Pharmaにおける販売費用の増加
- ✓ ウptrabiの売上増加に伴う、販促活動委託料の増加

● 研開費 14,637百万円  
(対前年同期比 -2,095百万円 -12.5%)

- ✓ 委託研究費や治験薬製造費用の減少等

# 業績予想の修正

・ 売上収益の増加に加え、販管費、研究開発費、為替差損の減少により営業利益を30億円上方修正

(百万円)	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率	
売上収益	166,000	168,000	+2,000	+1.2%	● 売上収益 168,000百万円 (前回予想比+2,000百万円 +1.2%) ✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーション（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、当社の製品売上および原価に計上されるようになった）
(医薬品)	(143,000)	(145,000)	(+2,000)	(+1.4%)	
(機能食品)	(23,000)	(23,000)	-	-	
売上原価	51,200	57,000	+5,800	+11.3%	● 売上原価 57,000百万円 (前回予想比+5,800百万円 +11.3%) ✓ アーリーダのリバース・コ・プロモーション開始等
販売費及び一般管理費	44,000	43,000	-1,000	-2.3%	
研究開発費	39,500	35,000	-4,500	-11.4%	● 販売費及び一般管理費 43,000百万円 (前回予想比 -1,000百万円 -2.3%) ✓ RGX-121の承認見込み時期遅れ（2025年11月9日から2026年2月8日）に伴う米国販売費用の減少等
その他の収益	600	1,000	+400	+66.7%	
その他の費用	1,900	1,000	-900	-47.4%	
営業利益	30,000	33,000	+3,000	+10.0%	
金融収益	700	900	+200	+28.6%	● 研究開発費 35,000百万円 (前回予想比 -4,500百万円 -11.4%) ✓ ビルテプソおよびその他品目の費用経費化の年度ずれ等
金融費用	100	200	+100	+100.0%	
税引前利益	30,600	33,700	+3,100	+10.1%	
法人所得税費用等	6,600	7,400	+800	+12.1%	
親会社の所有者に帰属する当期利益	24,000	26,300	+2,300	+9.6%	

\*2025年8月7日 2025年度第1四半期決算発表

業績予想における2025年度下期の為替レートは1ドル=140円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.4億円増加、営業利益が約2.4億円増加を想定。

# 予想損益計算書（連結）

為替レート（円、対米ドル）

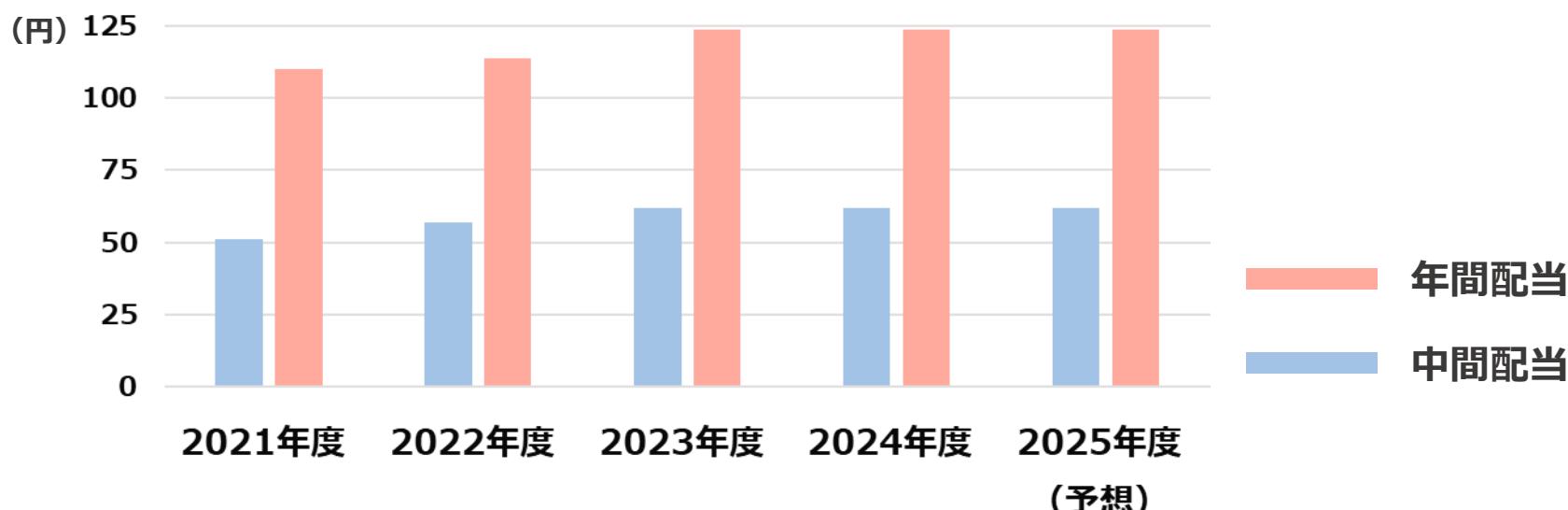
(百万円)	2024年度		2025年度		差異	増減率	2024年度 2025年度 2025年度		
	実績	売上比	予想	売上比			Q2実績	Q2実績	下期予想
売上収益	160,232	100.0%	168,000	100.0%	+7,767	+4.8%	152.8	146.0	140.0
(医薬品)	(138,654)	(86.5%)	(145,000)	(86.3%)	(+6,345)	(+4.6%)			
(機能食品)	(21,577)	(13.5%)	(23,000)	(13.7%)	(+1,422)	(+6.6%)			
売上原価	51,116	31.9%	57,000	33.9%	+5,883	+11.5%			
販売費及び一般管理費	38,011	23.7%	43,000	25.6%	+4,988	+13.1%			
研究開発費	34,341	21.4%	35,000	20.8%	+658	+1.9%			
その他の収益	874	0.5%	1,000	0.6%	+125	+14.3%			
その他の費用	2,186	1.4%	1,000	0.6%	-1,186	-54.3%			
営業利益	35,450	22.1%	33,000	19.6%	-2,450	-6.9%			
金融収益	830	0.5%	900	0.5%	+69	+8.4%			
金融費用	145	0.0%	200	0.1%	+54	+37.5%			
税引前利益	36,135	22.6%	33,700	20.1%	-2,435	-6.7%			
法人所得税費用等	3,577	2.3%	7,400	4.4%	+3,822	+106.9%			
親会社の所有者に帰属する当期利益	32,558	20.3%	26,300	15.7%	-6,258	-19.2%			

業績予想における2025年度下期の為替レートは1ドル=140円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.4億円増加、営業利益が約2.4億円増加を想定。

# 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

	2024年度	2025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	483.40 円	390.20 円 (予想)



# **CAP-1002 (deramiocel) アップデート**

# CAP-1002 (deramiocel) アップデート

September 25, 2025



## Capricor Therapeutics Provides Regulatory Update on Deramiocel Program for Duchenne Muscular Dystrophy Following Type A Meeting

- FDA and Capricor aligned on endpoints for HOPE-3 pivotal trial
- HOPE-3 pivotal trial completed; topline data expected mid-Q4 2025 to support BLA resubmission
- Company preparing to resubmit CRL response under the current BLA
- Conference call and webcast scheduled for today at 8:30 a.m. ET

SAN DIEGO, Sept. 25, 2025 (GLOBE NEWSWIRE) — **Capricor Therapeutics** (NASDAQ: CAPR), a biotechnology company developing transformative cell and exosome-based therapeutics for rare diseases, today announced a regulatory update for its Biologics License Application (BLA) for Deramiocel, the Company's investigational cell therapy for the treatment of Duchenne muscular dystrophy (DMD). This update follows a recent Type A meeting with the U.S. Food and Drug Administration (FDA) after the receipt of a Complete Response Letter (CRL) in July 2025.

The goal of the Type A meeting was to establish a path toward potential approval of Deramiocel for the treatment of DMD. Key outcomes included:

- The HOPE-3 clinical trial should serve as the "additional study" requested in the CRL.
- The HOPE-3 data can be submitted within the current BLA, maintaining PUL v2.0 as the primary efficacy endpoint and suggesting left ventricular ejection fraction (LVEF) as a key secondary endpoint, which Capricor intends to request for labeling consideration.
- Capricor plans to submit HOPE-3 data with its complete response to the CRL, with the goal of securing a label encompassing both cardiac and skeletal muscle function in DMD. In its meeting minutes, the FDA further emphasized its commitment, stating: "The FDA remains committed to collaborating with the applicant and will exercise further regulatory flexibility by reviewing data from the HOPE-3 trial."

"We are encouraged by the outcome of our discussions with the FDA, which provided clarity on our regulatory strategy and reinforced the opportunity to deliver HOPE-3 data as the basis for approval, should it meet regulatory requirements," said Linda Marbán, Ph.D., Capricor's Chief Executive Officer. "The results from the HOPE-2 and HOPE-2-OLE studies have already demonstrated clinically meaningful and statistically significant benefits in both cardiac and skeletal muscle function, and HOPE-3 is designed to further validate these findings in an adequate and well-controlled study. With HOPE-3 completed and data expected later this year, we remain confident in our ability to advance Deramiocel toward potential approval. Above all, our mission remains unchanged: to bring this therapy to patients and families living with Duchenne as quickly as possible."

Importantly, prior to issuance of the CRL, the majority of the BLA had undergone rigorous review with no significant deficiencies identified by the FDA during the mid-cycle review or pre-licensing inspections. All CMC items identified in the CRL have been addressed and communicated to the FDA. Capricor believes that the addition of HOPE-3 data will further strengthen the clinical package and support the broad potential of Deramiocel as a treatment for DMD.

The Company also maintains a strong financial position to support the advancement of Deramiocel through regulatory review and toward potential launch.

- 米国のカプリコール・セラピューティクス（カプリコール社）は、2025年7月に米国FDA（食品医薬品局）から受領したCAP-1002のBLA<sup>1</sup>承認申請に関する審査完了報告通知（Complete Response Letter<sup>2</sup>）について、8月に開催されたType-A ミーティング<sup>3</sup>内容を開示した
- 第Ⅲ相試験（HOPE-3）追加データ提出によってFDAの審査が再開される見込み
- HOPE-3の主要評価項目の上肢機能（PUL v2.0）から心機能（LVEF<sup>4</sup>）への変更は認められなかつたが、カプリコール社はLVEFを重要な副次評価項目と位置づけ、引き続きデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）心筋症での承認（および適応拡大の可能性）を目指す

1. BLA (Biologics License Application) : 生物製剤承認申請
2. Complete Response Letter (CRL) : FDAが承認申請の審査が完了した時点で、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通知書
3. Type-A ミーティング : CRL受領等によって承認申請プロセスが滞った製品開発プログラムに対するFDAとの協議の場
4. LVEF (Left Ventricular Ejection Fraction) : 左室駆出率

出所：2025年9月25日 カプリコール社開示

# CAP-1002 (deramiocel) : 開発スケジュールアップデート

- 2025年8月に開催されたFDAとのType-Aミーティングを受け、カプリコール社は提出済BLAに追加する形で、新たに第Ⅲ相試験（HOPE-3）のデータを提出することになった。
- HOPE-3のトップラインデータの開示は今後数週間、2025年Q4（10-12月）中に予定されている。

	CRL受領についての開示（2025年7月15日）以前	現状（2025年11月10日開示時点）
承認申請	2024年末に提出されたBLAを、FDAが2025年3月に受理	HOPE-3（コホートAおよびB）データは、現行BLAへの追加提出が可能
PDUFA（FDA承認）予定日	2025年8月31日	未定 <sup>1</sup> FDAが求めるすべての追加資料の提出が受理された段階で、新たな承認予定日（PDUFA）が示される見込み
審査期間	-	Class 2に基づき、追加資料の受理後、最長6か月 <sup>1</sup>
上市予定期	承認後、可能な限り速やかに	PDUFA通知され次第、決定 <sup>1</sup>
各種指定	1. Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) 指定 2. Orphan Drug 指定 3. Rare Pediatric Disease 指定	左記と同じ (CRL受領後も維持される)
想定される承認	第Ⅱ相試験（HOPE-2）およびオープンラベル継続投与（HOPE-2 OLE）試験で得られた、副次評価項目である心機能（LVEF）データを自然歴データと比較し、正式承認（full approval）を目指した	左記及びHOPE-3データにもとづく承認 主要評価項目はHOPE-2と同じく上肢機能（PUL）、副次評価項目は心機能（LVEF）等
適応症	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）心筋症	引き続きデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）心筋症（および適応拡大の可能性）での承認を目指す
主なイベント	承認に向け、FDAとのLate-cycle meeting およびAdvisory Committeeを予定していた	今後数週間、2025年第4四半期（10-12月）中にHOPE-3（コホートAおよびB）のトップラインデータを開示予定

1. Class 1あるいはClass 2は、CRL後の追加資料提出に適用される分類。Class 2は、比較的軽微なClass 1に該当しない「大きな修正」等であり、審査期間は最長6か月

# 米国における販売準備の状況

# 米国販売準備（1/2）

## CAP-1002およびRGX-121の米国上市に向け、採用活動を強化し、人的資源の再配分を実施

### 採用活動の強化

2025年1月以降、米国子会社NS Pharma (NSP) 全体では約30名を採用  
コマーシャル部門は更に10名程度の増員を計画

ペイヤーコミュニケーション、マーケティング、販売等の担当者も採用、新製品上市に向けた準備を進行中

(2025年10月現在、NSP社員数は約160名、  
うち約80名がコマーシャルまたはメディカル部門、販売担当は24名)

### 体制整備

- ・販売担当は、KAM (Key Account Manager、最重要施設担当)とABM (Area Business Manager)に分け、専門性を強化
- ・フィールドスタッフのチーム連携を強化
  - 販売担当(KAM/ABM)
  - 保険償還担当(DPA:Director of Patient Access)
  - 患者支援担当(PEL:Patient Engagement Lead)

体制構築は2025年度Q2末時点でほぼ完了

(新製品上市まではビルテプソの販促活動に注力)

後続の導入品 ATSN-101、RGX-111についてもこの体制で対応する予定

# 米国販売準備（2/2）

CAP-1002

カプリコール社と連携し、今後のHOPE-3試験結果、FDA申請情報を基に、上市準備を進める

## 市場調査と薬価・需要予測

- ・医療従事者・患者・介護者・保険者を対象とした市場調査を実施
- ・調査結果を参考に想定薬価や需要予測を検討

## 販売・サポート体制の準備

- ・保険償還、HUBサービス、患者サポート、疾患説明資材の準備<sup>1</sup>
- ・ブランド戦略、フィールドスタッフの活動計画の策定

## サプライチェーンの整備

- ・超低温輸送での供給網の整備
- ・投与可能施設の選定

## 臨床試験参加患者への対応

- ・臨床試験に参加した患者が商業製剤の待機患者になるため、医療機関に切り替え手順を確認

RGX-121

米国でムコ多糖症Ⅱ型（MPSⅡ）の診療を行っている中核病院は限られることから、処方施設を特定し、速やかに市場浸透を図る

## 投与施設の選定

- ・MPSⅡ患者を管理し商業用遺伝子治療に対応可能な認定治療センターを複数特定、施設との関係構築を開始

## 販売戦略・患者団体・学会活動

- ・MPS関連学会にブース出展、MPSⅡ患者会に協賛
- ・REGENXBIO社と連携し、FDAに追加提出了ピボタル試験長期データを踏まえ、マーケティング戦略を更新

1. HUB（包括的患者支援）サービス：保険償還を含む薬剤投与に関する包括的なサポートを実施

# **研究開発の進捗状況**

**取締役 研究開発担当 桑野 敬市**

# 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8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 (ビルトラルセン)	ビルテプソ	・ 301試験報告書のFDAレビューは2025年12月中に完了予定 ・ 303試験のプロトコルについてFDAへ照会中	2025年10月
適応追加	LY3527727 (ピルトブルチニブ)	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（小リンパ球性リンパ腫を含む）	2025年9月
発売	NS-304 (セレキシバグ)	ウptrabi	ウptrabi錠小児用0.05mg	2025年3月
適応追加			小児肺動脈性肺高血圧症	2024年12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
申請中	RGX-121 (clemidogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型 (米国FDAによる審査期間延長：PDUFA date <sup>1</sup> 2026年2月8日)	2025年8月（米国）
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症 (カプリコール社がFDAからCRL <sup>2</sup> を受領)	2025年7月（米国）
申請中	NS-401 (タグラキソフスプ)	—	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	2025年3月
PⅢ試験	GA101 (オビヌツズマブ)	ガザイバ	ロシュ社が、小児および若年成人の特発性ネフローゼ症候群に対する第Ⅲ相INShore試験のトップライン結果発表	2025年10月
PⅢ試験	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	—	ユーシービー社が、CDKL5欠損症を対象とした国際共同PⅢ試験において、主要評価項目の達成を発表	2025年6月

1. PDUFA (The Prescription Drug User Fee Act) date : FDAによる審査終了目標日

2. CRL (Complete Response Letter) : 審査完了報告通知。FDAが承認申請の審査が完了した時点で、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通知書

# 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8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
ライセンス契約締結 (リジェネクスバイオ社)	RGX-121 (clemidsgogene lanparvovec)	—	ムコ多糖症Ⅱ型	2025年1月 (米国および日本含むアジア)
	RGX-111	—	ムコ多糖症Ⅰ型	
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)
オプション契約締結 (AB2 BIO社)	Tadekinig alfa	—	NLRC4異常症およびXIAP欠損症	2025年1月 (米国)
研究提携 (ボストン小児病院)	—	—	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	2025年7月 (米国)
ファストトラック指定	NS-229	—	好酸球性多発血管炎性肉芽腫症	2025年9月 (米国)
オーファンドラッグ指定				2025年4月 (米国)
オーファンドラッグ指定	NS-051/NCNP-04	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2025年9月 (米国)
希少小児疾患指定				2025年1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 (ブロギルセン)	—	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	2024年12月 (日本)
学会発表			世界筋学会における長期試験解析データ（投与3.5年）発表	2025年10月
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

# 參考資料

# 医薬品売上収益の内訳

- ・ ビルテプソ（米国）およびビキセオスは市場環境の影響により、今期予想を下方修正
- ・ 工業所有権等収益は、米国でのメディケアパートDの制度変更等の影響を反映し、ウptrabのロイヤリティの今期予想を下方修正

(百万円)

製品名 / 開発記号	薬効	2024年度 2Q実績	2025年度 2Q実績	差異	増減率	2025年度 前回予想*	2025年度 今回修正予想	差異	増減率
ビルテプソ (内. 日本)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療剤	11,002	10,349	-652	-5.9%	21,500	21,100	-400	-1.9%
		(2,319)	(2,386)	(+66)	(+2.9%)	(4,800)	(4,800)	-	-
		(8,682)	(7,963)	(-718)	(-8.3%)	(16,700)	(16,300)	(-400)	(-2.4%)
ウptrab	肺動脈性肺高血圧症治療剤	7,474	8,448	+974	+13.0%	16,800	17,000	+200	+1.2%
	慢性血栓塞栓性肺高血圧症治療剤								
ビキセオス	高リスク急性骨髓性白血病治療剤	2,236	2,941	+704	+31.5%	7,300	6,500	-800	-11.0%
ガザイバ	CD20陽性の濾胞性リンパ腫治療剤	2,452	2,451	-0	-0.0%	5,200	5,000	-200	-3.8%
	CD20陽性の慢性リンパ性白血病治療剤								
ビダーザ	骨髄異形成症候群治療剤	2,757	1,818	-939	-34.1%	3,100	3,200	+100	+3.2%
	急性骨髓性白血病治療剤								
フィンテプラ	ドラベ症候群に伴うてんかん発作治療剤	680	1,765	+1,085	+159.6%	4,000	4,000	-	-
	レノックス・ガストー症候群に伴うてんかん発作治療剤								
デファイテリオ	肝類洞閉塞症候群治療剤	1,277	1,252	-25	-2.0%	2,500	2,500	-	-
トラマール・ワントラム	がん疼痛・慢性疼痛治療剤	1,470	1,184	-285	-19.4%	2,000	2,200	+200	+10.0%
シリス	勃起不全（ED）治療剤	1,219	1,119	-99	-8.2%	2,500	2,300	-200	-8.0%
アーリーダ	前立腺癌治療剤	-	-	-	-	-	6,300	+6,300	-
CAP-1002 deramiocel (米国)	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤	-	-	-	-	-	-	-	-
共同販促収入		4,700	4,792	+91	+2.0%	9,600	9,200	-400	-4.2%
工業所有権等収益		22,655	24,181	+1,525	+6.7%	47,500	47,000	-500	-1.1%
医薬品合計		68,496	68,561	+64	+0.1%	143,000	145,000	+2,000	+1.4%

業績予想における2025年度下期の為替レートは1ドル=140円、為替感応度は1円の円安で売上収益が約2.4億円増加を想定。

\*2025年8月7日 2025年度第1四半期決算発表

# 機能食品売上収益の内訳

- 前回の予想から変更なし

(百万円)	2024年度Q2 (4-9月)		2025年度Q2 (4-9月)		差異	増減率	2025年度 予想
	実績	売上比	実績	売上比			
プロテイン製剤	6,893	63.6%	6,861	61.9%	-31	-0.5%	13,900
品質安定保存剤	1,620	15.0%	1,624	14.7%	+3	+0.2%	3,400
サプリメント	1,202	11.1%	1,309	11.8%	+106	+8.9%	3,500
健康食品素材	487	4.5%	621	5.6%	+133	+27.5%	1,100
その他	632	5.8%	669	6.0%	+36	+5.8%	1,100
機能食品合計	10,836	100.0%	11,086	100.0%	+250	+2.3%	23,000

# 財政状況

(百万円)	2024年度	2025年度	差異		2024年度	2025年度	差異
	前会計年度末	当中間会計期間末			前会計年度末	当中間会計期間末	
資産	283,637	297,037	+13,400	負債	36,297	36,826	+529
(流動資産)	149,740	165,153	+15,413	(流動負債)	30,316	31,027	+710
(非流動資産)	133,897	131,884	-2,013	(非流動負債)	5,980	5,799	-181
				資本	247,340	260,211	+12,870
合 計	283,637	297,037	+13,400	合 計	283,637	297,037	+13,400

= 資産の部 =

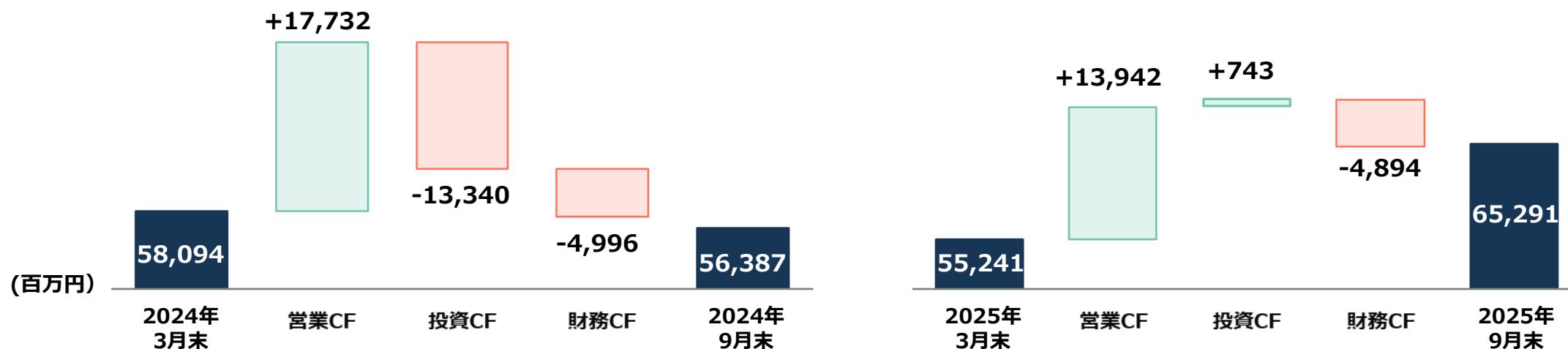
現金及び現金同等物	+10,050
棚卸資産	+5,129
その他の金融資産（非流動）	-1,255

= 負債・資本の部 =

営業債務及びその他の債務	+167
利益剰余金	+13,568

# キャッシュフローの状況

(百万円)	2024年度 Q2 (4-9月) 期末実績	2025年度 Q2 (4-9月) 期末実績	差異
営業活動によるキャッシュ・フロー	17,732	13,942	-3,790
投資活動によるキャッシュ・フロー	-13,340	743	+14,083
財務活動によるキャッシュ・フロー	-4,996	-4,894	+102
現金及び現金同等物の期末残高	56,387	65,291	+8,904



# 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 米国	<a href="#">jRCT2080224893</a> <a href="#">NCT04060199</a>
申請中	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カブリコール・セラピューティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症	—	米国	<a href="#">NCT03406780<sup>1</sup></a> <a href="#">NCT04428476<sup>2</sup></a>
申請中	NS-401 (タグラキソフスプ <sup>®</sup> )	導入 メリニ社	芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍	試験終了：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2031220023</a>
申請中	RGX-121 (clemidsogene lanparvovec)	提携 リジエネクバ社	ムコ多糖症Ⅱ型	PDUFA date <sup>3</sup> 2026年2月8日	米国	<a href="#">NCT03566043</a>
PⅢ	ZX008 (フェンフルラミン塩酸塩)	販売提携 ヨーシーピー社	CDKL5欠損症	試験終了：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2041230015</a>
	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	<a href="#">jRCT2011210059</a>
			小児特発性ネフローゼ症候群	申請予定：2026年	日本	<a href="#">NCT05627557</a>
			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	<a href="#">jRCT2071230031</a>
	CAP-1002 (deramiocel)	提携 カブリコール・セラピューティクス社	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	—	米国	<a href="#">NCT05126758</a>
	LY3527727 (ピルトブルチニブ <sup>®</sup> )	アライアンス 日本イーライリーブイ・リミテッド	マントル細胞リンパ腫	—	日本	<a href="#">jRCT2021210026</a>
			慢性リンパ性白血病	—	日本	<a href="#">jRCT2011210061</a> <a href="#">jRCT2041210150</a>
						<a href="#">jRCT2021220024</a>

※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. HOPE-2オーブンラベル延長(OLE)試験
3. PDUFA (The Prescription Drug User Fee Act) date : FDAによる審査終了目標日

# 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-304 (セレキシパグ)	自社	閉塞性動脈硬化症	試験終了：2025年度	日本	<a href="#">jRCT2031210497</a>
	NS-580	自社	子宮内膜症	一時中断	日本	<a href="#">jRCT2031210685</a>
			慢性前立腺炎/慢性骨盤痛症候群	一時中断	日本	<a href="#">jRCT2031230134</a>
	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	デュシエンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2041250028</a>
					米国	<a href="#">NCT05996003</a>
P I / II	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	<a href="#">jRCT2031230526</a>
					米国	<a href="#">NCT06046222</a>
	NS-050/NCNP-03	共同 国立精神・神経医療研究センター	デュシエンヌ型筋ジストロフィー	試験終了：2027年度	日本	<a href="#">jRCT2041240060</a>
					米国	<a href="#">NCT06053814</a>
P I	ATSN-101	導入 アトセナ・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	<a href="#">NCT03920007</a>
	RGX-111	提携 リジエネクスバイオ社	ムコ多糖症 I 型	試験終了：2024年度	米国	<a href="#">NCT03580083</a>
	NS-917 (radgocitabine)	導入 デルタフライファーマ株式会社	再発・難治性急性骨髓性白血病	試験終了：2026年度	日本	<a href="#">jRCT2031210452</a>
	NS-025	自社	泌尿器疾患	試験終了：2024年度	日本	<a href="#">jRCT2031220474</a>
	NS-863	自社	循環代謝系疾患	試験終了：2024年度	日本	<a href="#">jRCT2071230038</a>

※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

– 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

グローバルPⅢ継続試験

**開発形態**： 自社開発

**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

**剤 型**： 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%。

# CAP-1002 (deramiocel)

## – デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症治療剤 –

**開発段階 :** 米国 PⅢ試験

申請中 (デュシェンヌ型筋ジストロフィー心筋症)

**開発形態 :** カプリコール・セラピューティクス社が実施

カプリコール・セラピューティクス社と販売提携契約を締結  
(2022/1 米国、2023/2 国内)

**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心筋症

デュシェンヌ型筋ジストロフィー

**剤型 :** 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

– 芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍治療剤 –

開発段階：申請中

開発形態：自社開発

2021/3 メナリーニ社より導入

作用機序：CD123を標的とする抗がん作用

適 応 症：芽球性形質細胞様樹状細胞腫瘍

剤 型：注射剤

特 徴：IL-3とジフテリアトキシンの融合蛋白質であり、CD123を発現するがん細胞に取り込まれ、がん細胞を死に至らしめる効果を発現する

# R G X - 1 2 1 (clemidsgogene lanparvovec)

## – ムコ多糖症Ⅱ型治療剤 –

**開発段階 :** 米国 申請中

**開発形態 :** リジェネクスバイオ社が実施  
2025/1 リジェネクスバイオ社と販売提携契約

**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

**剤 型 :** 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](#)

# Z X 0 0 8 (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〉 PⅢ試験

**開発形態 :** ユーシービージャパン株式会社が実施

2019/3 ユーシービージャパン株式会社と日本国内における販売提携契約を締結

**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、レノックス・ガストー症候群、CDKL5欠損症

**剤型 :** 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)

# GA101（オビヌツズマブ）

– ループス腎炎治療剤、小児特発性ネフローゼ症候群治療剤、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：**〈LN〉 PⅢ試験

〈PNS〉 PⅢ試験

〈腎症を伴わないSLE〉 PⅢ試験

**開発形態：**中外製薬株式会社と共同開発

2012/11 中外製薬株式会社より導入

**作用機序：**抗CD20モノクローナル抗体

**適 応 症：**ループス腎炎（LN）、小児特発性ネフローゼ症候群（PNS）

腎症を伴わない全身性エリテマトーデス（SLE）

**剤 型：**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

## – 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

**<MCL> <CLL> PⅢ試験**

**開発形態 :** 日本イーライリリー株式会社が開発  
2024/3 日本イーライリリー株式会社と日本における  
アライアンス契約を締結

**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 型 :** 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

# NS-304 (セレキシパグ)

## - 閉塞性動脈硬化症治療剤 -

**開発段階：**〈ASO〉 PⅡb試験

**開発形態：**自社開発

**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 型：**錠剤

**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84万人と推定されている。

## - 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〉 PⅡb試験 一時中断

〈CP/CPPS〉 PⅡa試験 一時中断

**開発形態：**自社開発

**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 (CP/CPPS)

**剤 型：**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CP/CPPS治療剤として長期の疼痛コントロールが  
期待される

**– 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

**開発形態 :** 自社開発

**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

**剤 型 :** 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%。

## – 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

**開発形態**：自社開発

**作用機序**：JAK 1 阻害

**適 応 症**：好酸球性多発血管炎性肉芽腫症（EGPA）

**剤 型**：経口剤

**特 徴**：強力なJAK 1 阻害作用を有する

JAK 1 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

## – 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

**開発形態：**自社開発

**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

**剤 型：**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%。

## - 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

開発形態：アトセナ・セラピューティクス社が実施  
(米国) 販売提携契約  
(日本) 開発・販売ライセンス契約

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 型：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LCA 1 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

## – ムコ多糖症 I 型治療剤 –

**開発段階 :** グローバルP I / II 試験

**開発形態 :** リジェネクスバイオ社が実施

2025/1 リジェネクスバイオ社と販売提携契約

**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

**剤 型 :** 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](#)

# NS-917 (radgocitabine)

## - 再発・難治性急性骨髓性白血病治療剤 -

開発段階：PI試験

開発形態：自社開発

2017/3 デルタフライファーマ株式会社より導入

作用機序：代謝拮抗剤と異なる殺細胞作用

適応症：再発・難治性急性骨髓性白血病

剤型：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)

- 泌尿器疾患治療剤 -

開発段階：PI試験

開発形態：自社開発

作用機序：非開示

適応症：泌尿器疾患

剤型：経口剤

— 循環代謝系疾患治療剤 —

開発段階：P I 試験

開発形態：自社開発

作用機序：非開示

適 応 症：循環代謝系疾患

剤 型：経口剤

# 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.