

**2020年度(2021年3月期)第2四半期決算(IFRS)補足資料**

## —目次—

I.	連結業績ハイライト	1
II.	連結損益計算書	3
III.	セグメント情報	4
IV.	売上の状況	5
V.	連結財政状態計算書	7
VI.	四半期業績の推移	8
VII.	主要な連結子会社の状況	8
VIII.	株式の状況	9
IX.	開発状況表	10
X.	主な開発品のプロフィール	13

2020年10月28日

大日本住友製薬株式会社

・本資料には、当社グループに関する業績その他の予想、見通し、目標、計画その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる結果となる可能性があります。

・本資料の数字は四捨五入で表示しています。四捨五入のため、合計数字に差異が生じる場合があります。

## I. 連結業績ハイライト

(億円)

1. 連結損益計算書(コアベース)	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	前同比 増減率%	2019年度 実績	前期比 増減率%	2020年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	2,306	2,615	13.4	4,828	5.1	(4,950)	5,060
売上原価 *1	561	707	26.0	1,283	13.5	(1,400)	1,410
売上総利益	1,745	1,908	9.3	3,544	2.4	(3,550)	3,650
販売費及び一般管理費 *1	888	936	5.4	1,900	2.1	(2,190)	2,150
研究開発費 *1	410	492	20.0	926	11.7		1,030
その他の収益・費用 *2	1	△0		2			-
コア営業利益	448	480	7.2	720	△6.9	(330)	470
条件付対価公正価値の変動額(△:損)	418	1		485		△240	△40
その他の非経常項目(△:損) *3	△197	△5		△372			150
営業利益	668	475	△28.9	832	43.8	(240)	580
四半期(当期)利益	303	303	0.0	359	△26.1	(△120)	210
親会社の所有者に帰属する 四半期(当期)利益	303	373	23.0	408	△16.2	(90)	420
基本的1株当たり四半期(当期)利益(円)	76.34	93.88		102.58			105.71
親会社所有者帰属持分 四半期(当期)利益率(ROE)	6.0%	7.0%		7.9%			7.7%

(注) 業績予想を修正しています。括弧内の数値は従来の予想値です。業績予想の増減率は、修正予想値の前期比増減率です。

2. 連結損益計算書(フルベース)	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	前同比 増減率%
売上収益	2,306	2,615	13.4
売上原価	563	707	25.6
売上総利益	1,743	1,908	9.5
販売費及び一般管理費	470	942	100.2
研究開発費	602	492	△18.2
その他の収益・費用	△3	1	
営業利益	668	475	△28.9
金融収益・費用	△27	△39	
税引前四半期利益	641	437	△31.9
法人所得税	338	133	
四半期利益	303	303	0.0
親会社の所有者に帰属する四半期利益	303	373	23.0

\*1: 非経常項目(減損損失、条件付対価公正価値の変動額等)を除く  
 \*2: 持分法による損益等  
 \*3: \*2を除くその他の収益・費用、減損損失等の非経常項目

3. 連結キャッシュ・フロー計算書	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	318	261	
投資活動によるキャッシュ・フロー	108	194	
財務活動によるキャッシュ・フロー	△112	△98	
現金及び現金同等物の期末残高	1,647	1,347	

4. 為替換算レート	2019年4-9月		2020年4-9月		2020年度 想定レート	為替感応度(2020年度) (1円円安の影響)	
	期末日	平均	期末日	平均		平均	売上収益 (億円)
円/USD	107.9	108.6	105.8	106.9	108.0	26	△5
円/元	15.1	15.7	15.5	15.3	15.5	18	4

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	前同比 増減額	2020年度 予想	前期比 増減額	(億円)
設備投資額	54	42	△ 12	110	△ 10	
有形固定資産償却費	51	53	2	100	△ 5	
無形資産償却費	35	42	7	117	48	
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	23	29	6	92	48	

(注) 設備投資額は、有形固定資産とソフトウェアの設備投資額を記載しています。

#### 2020年度の主な設備投資計画

生産設備増強、総投資額20億円、2022年度完了予定

再生・細胞医薬製造施設新設、総投資額11億円、2021年度稼働予定

## II. 連結損益計算書

## 1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	増減額	増減率%		増減	うち為替
<b>売上収益</b>	2,306	<b>2,615</b>	309	13.4	←	日本	132
海外売上	1,494	<b>1,668</b>	174	11.6		北米	152
海外売上比率	64.8%	<b>63.8%</b>				中国	△ 17
海外売上比率						海外その他	△ 3
その他						その他	△ 7
売上原価	561	<b>707</b>	146	26.0			
売上原価率	24.3%	<b>27.0%</b>					
<b>売上総利益</b>	1,745	<b>1,908</b>	163	9.3			
販売費及び一般管理費	888	<b>936</b>	48	5.4	←	うちスミトバント	+150
人件費	399	<b>461</b>	62	15.6			
広告宣伝費	104	<b>88</b>	△ 16	△ 15.2			
販売促進費	70	<b>65</b>	△ 5	△ 7.4			
減価償却費	55	<b>65</b>	10	17.4			
その他	259	<b>256</b>	△ 3	△ 1.2			
研究開発費	410	<b>492</b>	82	20.0	←	うちスミトバント	+138
研究開発費売上収益比率	17.8%	<b>18.8%</b>					
その他の収益・費用	1	<b>△ 0</b>	△ 1				
<b>コア営業利益</b>	448	<b>480</b>	32	7.2			
条件付対価公正価値 の変動額 (△:損)	418	<b>1</b>	△ 417				
その他の非経常項目 (△:損)	△ 197	<b>△ 5</b>	192		←		
<b>営業利益</b>	668	<b>475</b>	△ 193	△ 28.9			
金融収益	23	<b>7</b>	△ 16				
金融費用	50	<b>46</b>	△ 4				
<b>税引前四半期利益</b>	641	<b>437</b>	△ 205	△ 31.9			
法人所得税	338	<b>133</b>	△ 205		←		
<b>四半期利益</b>	303	<b>303</b>	0	0.0			
<b>親会社の所有者に帰属する 四半期利益</b>	303	<b>373</b>	70	23.0			

条件付対価変動額(△:損)	19/2Q	20/2Q
ロンハラマゲネア関連	△ 5	—
旧ホストン・バイオメディカル関連	*281	△ 2
旧トレロ関連	*141	*3

\* 事業計画見直し等に伴う公正価値の減少

← 前期:仕掛研究開発の減損発生

← 前期:米国で繰延税金資産の取崩発生

## 2. コア営業利益への調整項目

(億円)

2020年度2Q実績	フルベース	コアベース	調整額	主な調整項目
<b>売上収益</b>	2,615	<b>2,615</b>	-	
売上原価	707	<b>707</b>	-	
<b>売上総利益</b>	1,908	<b>1,908</b>	-	
販売費及び一般管理費	942	<b>936</b>	△ 6	・条件付対価公正価値の変動額 1 ・事業構造改善費用 △6
研究開発費	492	<b>492</b>	-	
その他の収益	5	<b>△ 0</b>	△ 6	
その他の費用	4	<b>-</b>	△ 4	
<b>営業利益</b>	475	<b>480</b>	4	

## Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2020年度2Q実績	医薬品事業					その他	連結
	日本	北米	中国	海外 その他	合計		
売上収益(外部顧客向け)	773	1,445	123	93	2,435	180	2,615
売上原価	402	115	22	32	571	136	707
売上総利益	372	1,330	101	62	1,864	44	1,908
販売費及び一般管理費	238	622	38	13	911	25	936
<b>コアセグメント利益</b>	<b>133</b>	<b>708</b>	<b>63</b>	<b>49</b>	<b>953</b>	<b>19</b>	<b>972</b>
研究開発費 *1					488	4	492
その他の収益・費用(コア内)*2					△ 0	0	△ 0
<b>コア営業利益</b>					<b>465</b>	<b>15</b>	<b>480</b>

(億円)

2019年度2Q実績	医薬品事業					その他	連結
	日本	北米	中国	海外 その他	合計		
売上収益(外部顧客向け)	642	1,293	140	43	2,119	187	2,306
売上原価	263	114	23	15	416	145	561
売上総利益	379	1,179	117	28	1,703	42	1,745
販売費及び一般管理費	246	559	42	16	862	26	888
<b>コアセグメント利益</b>	<b>133</b>	<b>621</b>	<b>75</b>	<b>12</b>	<b>842</b>	<b>16</b>	<b>857</b>
研究開発費 *1					406	4	410
その他の収益・費用(コア内)*2					1	△ 0	1
<b>コア営業利益</b>					<b>436</b>	<b>11</b>	<b>448</b>

(億円)

2020年度予想	医薬品事業					その他	連結
	日本	北米	中国	海外 その他	合計		
売上収益(外部顧客向け)	1,533	2,721	277	169	4,700	360	5,060
売上原価	791	239	54	51	1,135	275	1,410
売上総利益	742	2,482	223	118	3,565	85	3,650
販売費及び一般管理費	520	1,461	85	29	2,095	55	2,150
<b>コアセグメント利益</b>	<b>222</b>	<b>1,021</b>	<b>138</b>	<b>89</b>	<b>1,470</b>	<b>30</b>	<b>1,500</b>
研究開発費 *1					1,020	10	1,030
その他の収益・費用(コア内)*2					-	-	-
<b>コア営業利益</b>					<b>450</b>	<b>20</b>	<b>470</b>

\*1 医薬品の研究開発費は、グローバルに管理しているため各セグメントに配分していません。

\*2 持分法による損益等

(注) 業績予想を修正しています。

## IV. 売上の状況

## 1. 医薬セグメント別売上収益（外部顧客向け）

（億円）

セグメント	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	増減額	増減率%	2020年度 予想		進捗率%
日本	642	773	132	20.5	(1,531)	1,533	50.5
北米	1,293	1,445	152	11.7	(2,585)	2,721	55.9
中国	140	123	△ 17	△ 12.4	(285)	277	43.1
海外その他	43	93	50	114.8		169	55.2

## 2. 主要製品の販売状況①

（仕切価ベース、億円）

品目 [薬効]	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	増減額	増減率%	2020年度 予想		進捗率%
<b>日本</b>							
<b>プロモーション品</b>							
エクア・エクメット *1 [2型糖尿病治療剤]'19.11～	—	204	204	—		405	50.4
トルリシティ *2 [2型糖尿病治療剤]'15.9～	145	168	23	15.9		366	45.9
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	83	83	△ 0	△ 0.3		170	48.6
リプレガル [ファブリー病治療剤]	70	69	△ 1	△ 1.9	(133)	137	51.9
メグルコ [2型糖尿病治療剤]	49	47	△ 2	△ 4.5		88	53.4
アムビゾーム [深在性真菌症治療剤]	21	18	△ 2	△ 10.2		40	46.1
ラゾーダ [非定型抗精神病薬]'20.6～	—	9	9	—		22	39.8
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬]'19.9～	1	6	5	470.6		25	22.2
<b>その他品目</b>							
アムロジン [高血圧症・狭心症治療薬]	40	33	△ 6	△ 16.1		61	54.7
シュアポスト [2型糖尿病治療剤]	34	27	△ 8	△ 22.8		35	76.1
オーソライズドジェネリック品	38	38	△ 0	△ 0.5		72	52.1

\*1 プロモーションのフィー収入は除く

\*2 トルリシティの売上収益は薬価ベースの数値

(注) 一部製品の売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。進捗率は従来予想値に対する率です。

## 2. 主要製品の販売状況②

(億円)

品目 [薬効]	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	増減額	増減率%	2020年度 予想	進捗率%	
<b>北米</b>							
ラツーダ [非定型抗精神病薬]	948	<b>1,046</b>	98	10.3	(1,879)	1,990	55.7
ブロバナ [COPD治療剤]	165	<b>151</b>	△ 14	△ 8.3		297	50.9
アプティオム [抗てんかん剤]	109	<b>134</b>	25	23.0	(233)	246	57.3
ロンハラ マグネア [COPD治療剤]'18.4~	14	<b>10</b>	△ 4	△ 27.6		30	33.4
ゾペネックス [喘息治療剤]	20	<b>25</b>	6	29.1		46	54.8
キンモビ [パーキンソン病に伴うオク症状治療剤] '20.9~	—	<b>1</b>	1	—		11	11.6
<b>中国</b>							
メロベン [カルバペネム系抗生物質製剤]	120	<b>99</b>	△ 21	△ 17.5	(230)	225	43.1
<b>海外その他</b>							
メロベン [カルバペネム系抗生物質製剤]	28	<b>34</b>	6	21.4		57	60.1

## (参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2019年度 2Q実績	2020年度 2Q実績	増減額	増減率%	2020年度 予想	進捗率%	
ラツーダ	873	<b>978</b>	105	12.0	(1,740)	1,843	56.2
ブロバナ	152	<b>141</b>	△ 10	△ 6.8		275	51.4
アプティオム	100	<b>125</b>	25	24.9	(216)	228	57.8
ロンハラ マグネア	13	<b>9</b>	△ 3	△ 26.5		28	33.5
ゾペネックス	18	<b>24</b>	6	31.1		43	54.9
キンモビ	—	<b>1</b>	1	—		10	11.9

(注) 一部製品の売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来予想値です。進捗率は従来予想値に対する率です。

## V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2020年 3月末	2020年 9月末	対20/3末 増減額
<b>資産</b>	<b>12,529</b>	<b>12,385</b>	<b>△ 144</b>
(非流動資産)	8,888	8,611	△ 277
有形固定資産	657	637	△ 20
のれん	1,690	1,643	△ 47
無形資産	4,218	4,081	△ 137
特許権・販売権	85	585	500
仕掛研究開発	4,063	3,431	△ 631
その他	70	64	△ 6
その他の金融資産	2,009	1,890	△ 119
その他の非流動資産	42	40	△ 2
繰延税金資産	271	320	49
(流動資産)	3,641	3,774	133
棚卸資産	794	818	25
営業債権及びその他の債権	1,345	1,394	49
その他の金融資産	287	38	△ 249
その他の流動資産	155	133	△ 22
現金及び現金同等物	1,017	1,347	330
小計	3,598	3,731	133
売却目的で保有する資産	43	43	—
<b>負債</b>	<b>6,208</b>	<b>6,025</b>	<b>△ 183</b>
(非流動負債)	1,243	2,370	1,127
社債及び借入金	250	1,405	1,155
その他の金融負債	413	392	△ 22
退職給付に係る負債	239	244	5
その他の非流動負債	72	51	△ 22
繰延税金負債	269	280	11
(流動負債)	4,965	3,655	△ 1,310
社債及び借入金	2,730	1,570	△ 1,160
営業債務及びその他の債務	623	530	△ 92
その他の金融負債	139	137	△ 2
未払法人所得税	226	134	△ 93
引当金	846	938	91
その他の流動負債	401	347	△ 54
<b>資本</b>	<b>6,321</b>	<b>6,360</b>	<b>39</b>
資本金	224	224	—
資本剰余金	147	166	20
自己株式	△ 7	△ 7	0
利益剰余金	4,573	4,888	315
その他の資本の構成要素	358	163	△ 195
親会社の所有者に帰属する持分	5,295	5,435	140
非支配持分	1,026	925	△ 101

のれん内訳	20/3	20/9
オンコロジー以外	1,452	1,412
オンコロジー関連	238	232

キンモビの仕掛研究開発を特許権へ振替

仕掛研究開発内訳	20/3	20/9
キンモビ(アホモルヒネ)	541	* -
旧ホストン・バイオメディカル品目	276	269
旧トレロ品目	261	254
レルゴリクス	1,751	1,702
ビベグロン	1,090	1,060
他	143	147

\*特許権へ振替

短期貸付金減少

社債・借入金合計	2,980 → 2,974
劣後債発行により1,200億円を長期資金化	

条件付対価公正価値残高	20/3	20/9	今後の支払 総額(最大)
ロンハラグ・ネア関連	—	—	\$210M
旧ホストン・バイオメディカル関連	174	171	\$1,390M
旧トレロ関連	138	132	\$580M
合計	312	303	
その他の金融負債(非流動・流動)の内数			

為替レート	20/3	20/9
USD	108.8 ⇒	105.8
RMB	15.3 ⇒	15.5



## VI. 四半期業績の推移

(億円)

コアベース	2019年度				2020年度	
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
売上収益	1,175	1,131	1,264	1,257	1,339	1,276
売上原価	288	273	370	353	360	347
売上総利益	886	859	894	905	979	929
販売費及び一般管理費	463	424	498	514	478	458
研究開発費	200	210	202	314	257	235
その他の収益・費用(コア内)	0	0	1	0	△ 0	△ 0
コア営業利益	223	225	195	77	244	236
条件付対価に係る 公正価値の変動額(△:損)	185	233	△ 9	77	△ 12	13
その他の非経常項目(△:損)	△ 3	△ 194	△ 39	△ 136	1	△ 6
営業利益	404	264	146	18	233	243
四半期利益	67	236	136	△ 81	156	148
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	67	236	136	△ 32	183	190

## VII. 主要な連結子会社の状況(2020年9月30日現在)

国内	設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
DSP五協フード&ケミカル株式会社	1947/10	100%	204名	食品素材・食品添加物および化学製品材料等の製造、販売
DSファーマアニマルヘルス株式会社	2010/7	100%	90名	動物用医薬品等の製造、販売
DSファーマプロモ株式会社	1998/6	100%	45名	医療用医薬品等の製造、販売
海外	設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
スミトダイニッポンファーマアメリカ・インク	2009/7	100%	59名	サノピオン社、スミトダイニッポンファーマオノンロジー社の持株会社および各社の一般管理業務
サノピオン・ファーマシューティカルズ・インク	1984/1	100%	*1,450名	医療用医薬品の製造、販売
スミトダイニッポンファーマオノンロジー・インク	2006/11	100%	211名	がん領域の研究開発
スミバント・バイオファーマ・インク	2019/10	100%	62名	スミバントグループ会社の管理および事業戦略等の策定推進
マイオバント・サイエンシズ・リミテッド	2016/2	54%	*262名	医療用医薬品(婦人科、前立腺がん)の研究開発
ユーロバント・サイエンシズ・リミテッド	2016/1	74%	*127名	医療用医薬品(泌尿器科疾患)の研究開発
エンジバント・セラピューティクス・リミテッド	2016/1	100%	*20名	医療用医薬品(小児希少疾患)の研究開発
アルタバント・サイエンシズ・リミテッド	2017/9	100%	*14名	医療用医薬品(呼吸器系希少疾患)の研究開発
スピロバント・サイエンシズ・リミテッド	2019/2	100%	*16名	医療用医薬品(嚢胞性線維症(遺伝子治療))の研究開発
住友製薬(蘇州)有限公司	2003/12	100%	775名	医療用医薬品の製造、販売

\*従業員数は傘下の連結子会社の人員を含む

参考)従業員数(名)	2019/3/31		2020/3/31		2020/9/30	
連結/個別	6,140	3,067	6,457	3,023	6,596	3,073
MR人数(コントラクトMR含む)						
日本 マネージャー除く/総数	1,120	1,240	1,220	1,340	1,210	1,330
米国* マネージャー除く/総数	720	820	650	740	570	660
中国 マネージャー除く/総数	340	400	330	400	350	420

\*販売体制構築中のスミバントグループ各社の営業人員は含まず

## Ⅷ. 株式の状況(2020年9月30日現在)

1. 発行可能株式総数 1,500,000,000株
2. 発行済株式の総数 397,900,154株(自己株式605,437株を含む)
3. 所有者別株式数

所有者区分	株主数(名)	株式数(千株)	構成比(%)
金融機関	59	95,958	24.12
金融商品取引業者	49	4,042	1.01
その他の法人	295	231,899	58.28
外国法人等	607	41,658	10.47
個人・その他(自己株式を含む)	25,633	24,341	6.12
合計	26,643	397,900	100

(注) 株式数は千株未満を切り捨てています。

## 4. 上位10名の株主

株主名	持株数(千株)	持株比率(%)
住友化学株式会社	205,634	51.76
日本マスタートラスト信託銀行株式会社(信託口)	31,190	7.85
稲畑産業株式会社	17,582	4.43
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	13,044	3.28
日本生命保険相互会社	7,581	1.91
株式会社SMBC信託銀行 (株式会社三井住友銀行退職給付信託口)	7,000	1.76
住友生命保険相互会社	5,776	1.45
株式会社日本カストディ銀行(信託口7)	3,940	0.99
BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNYM GCM CLIENT ACCTS M ILM FE	3,306	0.83
株式会社日本カストディ銀行(信託口5)	3,090	0.78

(注1) 持株比率は、自己株式(605,437株)を控除して計算しています。(当社名義で実質的に所有していない株式1,000株を除く)

(注2) 持株数は千株未満を切り捨てています。

## Ⅸ. 開発状況表(2020 年 10 月 28 日現在)

- この表には当社グループが日本・米国・中国において承認取得を目指す適応症に関する臨床試験を掲載しており、全ての臨床試験は掲載していません。
- がん領域については、同じ適応症で複数の試験がある場合は、最も進んでいる開発段階の試験のみを記載しています。
- 開発段階の変更基準は、治験届受理日としています。

## 1. 精神神経領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
ロナセン (プロナンセリン)	(新用法:小児)統合失調症	日本	申請(2020/5)
SEP-363856	統合失調症	米国	フェーズ 3
	パーキンソン病に伴う精神病症状	日本	フェーズ 1
EPI-743 (バチキノン)	パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 2
EPI-589	リー脳症	日本	フェーズ 2/3
SEP-4199	パーキンソン病	米国	フェーズ 2
	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	米国	フェーズ 2
DSP-6745	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	日本	フェーズ 1
SEP-378608	双極 I 型障害うつ	米国・日本	フェーズ 2(国際共同試験)
DSP-3905	パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 1
SEP-378614	双極性障害	米国	フェーズ 1
SEP-380135	神経障害性疼痛	米国	フェーズ 1
DSP-1181	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1
	アルツハイマー病に伴う行動障害	米国	フェーズ 1
	強迫性障害	日本	フェーズ 1

## 2. がん領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
レルゴリクス	前立腺がん(単剤)	米国	申請(2020/4)
BBI608 (ナパブカシン)	結腸直腸がん(併用)	米国・日本	フェーズ 3(国際共同試験)
	肝細胞がん(併用)	米国	フェーズ 1/2
	消化器がん(併用)	米国	フェーズ 1/2
	固形がん(併用)	米国	フェーズ 1/2
DSP-2033 (alvocidib)	急性骨髄性白血病(AML)(単剤・併用) (再発・難治性患者対象)	米国	フェーズ 2
	骨髄異形成症候群(MDS)(併用)	米国	フェーズ 1/2

## 2. がん領域(続き)

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
DSP-7888 (アデグラモチド酢酸塩／ ネラチモチドリフルオロ酢酸 塩)	膠芽腫(併用)	米国・日本	フェーズ 2(国際共同試験)
	固形がん(併用)	米国	フェーズ 1/2
TP-0903 (dubermatinib)	固形がん(単剤・併用)	米国・日本	フェーズ 1
DSP-0509	固形がん(単剤・併用)	米国	フェーズ 1/2
TP-0184	骨髄異形成症候群に伴う貧血(単剤)	米国	フェーズ 1/2
	固形がん(単剤)	米国	フェーズ 1
DSP-0337	固形がん(単剤)	米国	フェーズ 1
TP-1287	固形がん(単剤)	米国	フェーズ 1
TP-3654	固形がん(単剤)	米国	フェーズ 1
	骨髄線維症(単剤・併用)	米国	フェーズ 1
TP-1454	固形がん(単剤・併用)	米国	フェーズ 1

## 3. 再生・細胞医薬分野

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
RVT-802	小児先天性無胸腺症	米国	申請(2019/4) 審査結果通知(CRL)を受 領(2019/12)
他家 iPS 細胞由来ドパミン神 経前駆細胞	パーキンソン病	日本	フェーズ 1/2 (医師主導治験)
HLCR011 (他家 iPS 細胞由来網膜色 素上皮)	加齢黄斑変性	日本	治験開始に向けて準備中

## 4. その他の領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
ビベグロン	過活動膀胱	米国	申請(2019/12)
	前立腺肥大症を伴う過活動膀胱	米国	フェーズ 3
	過敏性腸症候群関連疼痛	米国	フェーズ 2
レルゴリクス	子宮筋腫	欧州	申請(2020/3)
		米国	申請(2020/5)
	子宮内膜症	米国	フェーズ 3(国際共同試験)
PXL008 (イメグリミン塩酸塩)	2 型糖尿病	日本	申請(2020/7)
rodatristat ethyl	肺動脈性肺高血圧症(PAH)	米国	フェーズ 2
MVT-602	不妊症	ドイツ	フェーズ 2
URO-902	過活動膀胱	米国	フェーズ 2

## 5. フロンティア事業

製品／コード名	予定適応症	地域	開発段階
SMC-01 (糖尿病管理指導用モバイル アプリケーション)	2 型糖尿病	日本	フェーズ 3 ((株)Save Medical との共同開発)

## 【前回 2020 年 7 月決算発表時点からの主な変更点】

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階	変更内容
SMC-01 (糖尿病管理指導用モバイル アプリケーション)	2 型糖尿病	日本	フェーズ 3 ((株)Save Medical との共同開発)	新規掲載

## X. 主な開発品のプロフィール(2020 年 10 月 28 日現在)

### 1. 精神神経領域

#### **SEP-363856** 起源: 自社 (Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 本剤は、新規な作用メカニズムの抗精神病薬であり、セロトニン 5-HT<sub>1A</sub> アゴニスト活性を持つ TAAR1 (微量アミン関連受容体 1) アゴニストであり、ドパミン D<sub>2</sub> またはセロトニン 5-HT<sub>2A</sub> 受容体には結合しない。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-363856 を見出した。統合失調症患者を対象としたフェーズ 2 の結果では、統合失調症の陽性症状および陰性症状への効果を示し、錐体外路症状、体重増加、脂質およびグルコースの異常、プロラクチン上昇の副作用はプラセボと同程度であった。
- 開発段階:  
統合失調症: フェーズ 3 (米国)  
パーキンソン病に伴う精神病症状: フェーズ 2 (米国)  
統合失調症: フェーズ 1 (日本)

#### **バチキノン(EPI-743)** 起源: PTC Therapeutics 社 (BioElectron 社から取得)、剤形: 経口剤

- 本剤は、ミトコンドリアの機能低下により発生する酸化ストレスを除去することにより効果を発揮し、有効な治療薬の存在しないリー脳症をはじめとするミトコンドリア病に対する世界初の治療薬になることが期待される。
- 開発段階: リー脳症 フェーズ 2/3 (日本) 終了、今後の開発方針について検討中

#### **EPI-589** 起源: PTC Therapeutics 社 (BioElectron 社から取得)、剤形: 経口剤

- 本剤は、ミトコンドリアの機能低下により発生する酸化ストレスを除去することにより効果を発揮し、酸化ストレスに起因する神経変性疾患への適応が期待される。
- 開発段階:  
パーキンソン病: フェーズ 2 (米国)  
筋萎縮性側索硬化症 (ALS): フェーズ 2 (米国)  
筋萎縮性側索硬化症 (ALS): フェーズ 1 (日本)

#### **SEP-4199** 起源: 自社 (Sunovion 社)、剤形: 経口剤

- 本剤は、アミスルプリド鏡像異性体の非ラセミ混合物である。Sunovion 社は、アミスルプリドの薬理作用は鏡像異性体に特異的であり、S 体に対する R 体の比率を増加させることにより、ドパミン D<sub>2</sub> 受容体に比べてセロトニン 5-HT<sub>7</sub> 受容体への作用が高まることを見出した。本剤は、抗うつ作用を強めるためにセロトニン 5-HT<sub>7</sub> 活性を高め、双極性障害うつ治療に適したレベルのドパミン D<sub>2</sub> 受容体占有率となるよう設計されている。
- 開発段階: 双極 I 型障害うつ フェーズ 2 (米国・日本)

#### **DSP-6745** 起源: 自社、剤形: 経口剤

- 本剤は、セロトニン 5-HT<sub>2A</sub> とセロトニン 5-HT<sub>2C</sub> 受容体に対するデュアルアンタゴニストであり、パーキンソン病に伴う精神病症状、およびパーキンソン病の非運動症状 (non-motor symptoms; うつ、不安、認知機能障害) に対する効果が期待される。また、本剤はドパミン D<sub>2</sub> 受容体拮抗作用がない。
- 開発段階: パーキンソン病に伴う精神病症状 フェーズ 1 (米国)

#### **SEP-378608** 起源: 自社 (Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-378608 を見出した。非臨床試験において、気分の制御に関係する重要な脳領域での神経活動を調節する可能性が示唆されている。
- 開発段階: 双極性障害 フェーズ 1 (米国)

**DSP-3905**

起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、電位依存性ナトリウムチャンネル Nav1.7 選択的阻害剤であり、本剤の阻害様式から神経が過剰に興奮している疼痛時に強い鎮痛作用を示すことが期待される。また、既存の神経障害性疼痛治療薬では中枢神経系や心臓系の副作用が発症することもあるが、末梢神経に発現する Nav1.7 に高い選択性を示す本剤は、そのような副作用を起こしにくいことが期待される。
- ・ 開発段階: 神経障害性疼痛 フェーズ 1(米国)

**SEP-378614**

起源: 自社(Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-378614 を見出した。非臨床試験において、即効性かつ持続性の抗うつ薬様活性を発現し、神経可塑性を高める可能性が示唆されている。
- ・ 開発段階: 治療抵抗性うつ フェーズ 1(米国)

**SEP-380135**

起源: 自社(Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-380135 を見出した。非臨床試験において、焦燥、攻撃性、精神運動多亢進、うつ、社会的相互作用の欠如などの認知症に伴う行動・心理症状に対して有効性を示すことが示唆されている。
- ・ 開発段階: アルツハイマー病に伴う行動障害 フェーズ 1(米国)

**DSP-1181**

起源: 自社(Exscientia 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、Exscientia 社の AI 技術を用いて当社が創製した新規化合物である。既存のセロトニン 5-HT<sub>1A</sub> 受容体パーシャルアゴニスト(非ベンゾジアゼピン系の抗不安薬)と異なり、セロトニン 5-HT<sub>1A</sub> 受容体に対して強力なフルアゴニスト活性を有することや長い半減期が示唆されていることから、長時間にわたり強い薬効が期待できる。また、強迫性障害に関わる神経回路を操作した病態モデルにおいて、標準治療薬である選択的セロトニン再取り込み阻害薬(SSRI)よりも早い薬効発現が示唆されている。
- ・ 開発段階: 強迫性障害 フェーズ 1(日本)

**2. がん領域**

**ナパカシン(BBI608)**

起源: 自社(旧 Boston Biomedical 社)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、新しいメカニズムの低分子経口剤で、がん細胞に発現する酵素 NQO1 によって生体内活性化を受け、活性酸素種を産生することで STAT3 を含むがん幹細胞性やがんの増悪に関わる経路を阻害し、最終的にはがん細胞を死に至らしめると期待されている。
- ・ 開発段階:

開発段階	予定適応症	開発地域	併用薬	試験番号
フェーズ 3	結腸直腸がん(併用)	米国・日本	FOLFIRI <sup>*3</sup> 、FOLFIRI <sup>*3+</sup> ベバシズマブ	CanStem303C
フェーズ 1/2	固形がん <sup>*1</sup> (併用)	米国	パクリタキセル	201
	肝細胞がん <sup>*2</sup> (併用)	米国	ソラフェニブ	HCC-103
	固形がん(併用)	米国	イピリムマブ、ペムブロリズマブ、ニボルマブ	201CIT
	消化器がん(併用)	米国	FOLFOX <sup>*3</sup> 、FOLFOX <sup>*3+</sup> ベバシズマブ、CAPOX <sup>*3</sup> 、FOLFIRI <sup>*3</sup> 、FOLFIRI <sup>*3+</sup> ベバシズマブ、レゴラフェニブ、イリノテカン	246

\*1 フェーズ 2 段階: 卵巣がん、乳がん、メラノーマ等

\*2 フェーズ 2 段階

\*3 FOLFOX: フルオロウラシル、ロイコボリン、オキサリプラチンの併用

CAPOX: カペシタビン、オキサリプラチンの併用  
 FOLFIRI: フルオロウラシル、ロイコボリン、イリノテカンの併用

**alvocidib(DSP-2033)**

起源: Sanofi 社、剤形: 注射剤

- 本剤は、低分子のサイクリン依存性キナーゼ(CDK)9 阻害剤である。がん関連遺伝子の転写制御に関与している CDK ファミリーの一つである CDK9 を阻害することによって、抗アポトーシス遺伝子である MCL-1 を抑制し、抗腫瘍作用を示すと考えられる。
- 開発段階:

開発段階	予定適応症	開発地域	併用薬	試験番号
フェーズ 2	急性骨髄性白血病(単剤・併用) (ベネトクラクス併用治療後の再発・難治性患者対象)	米国	シタラビン	TPI-ALV-202
フェーズ 1/2	骨髄異形成症候群(併用)	米国	デシタビン、アザシチジン	TPI-ALV-102 (Zella 102)

**アデグラモチド酢酸塩／ネラチモチドトリフルオロ酢酸塩(DSP-7888)**

起源: 自社、剤形: 注射剤

- 起源: 自社、剤形: 注射剤
- 本剤は、WT1(Wilms' tumor gene 1)タンパク由来の治療用がんペプチドワクチンであり、WT1 特異的な細胞傷害性T細胞(CTL)を誘導するペプチドおよびヘルパーT 細胞を誘導するペプチドを含む新規ペプチドワクチンである。本剤の投与により誘導される CTL が、WT1 タンパクを発現するがん細胞を攻撃することで、種々の血液がんおよび固形がんに対して治療効果を発揮することが期待される。ヘルパーT 細胞を誘導するペプチドを加えることによって、CTL を誘導するペプチド単独よりも高い有効性を示すと考えられる。本剤は、幅広い患者への適応が期待される。
- 開発段階:

開発段階	予定適応症	開発地域	併用薬	試験番号
フェーズ 2	膠芽腫(併用)	米国・日本	ベバシズマブ	BBI-DSP7888-201G
フェーズ 1/2	固形がん(併用)	米国	ニボルマブ、ペムブロリズマブ	BBI-DSP7888-102CI

**dubermatinib(TP-0903)**

起源: ユタ大学、剤形: 経口剤

- 本剤は、AXL 受容体チロシンキナーゼを含む複数のキナーゼ阻害剤である。抗がん剤への耐性やがんの転移などに関与するとされているキナーゼの一つである AXL を阻害し、間葉系様細胞の性質への移行を妨げることによって、様々ながん種の細胞に対する抗腫瘍作用を示すと考えられる。本剤は、非臨床試験において、AXL シグナル伝達を阻害し、間葉系様細胞から上皮細胞の性質に逆転させることが示されている。
- 開発段階:  
固形がん(単剤・併用):フェーズ 1(米国・日本)

**DSP-0509**

起源: 自社、剤形: 注射剤

- 本剤は、新規の Toll-like receptor 7(TLR7)アゴニストである。樹状細胞に発現する TLR7 に対するアゴニスト作用を介して、サイトカイン誘導や細胞傷害性 T 細胞(CTL)の活性化を促進すると考えられる。さらに、免疫記憶を司るメモリーT 細胞を誘導し、抗腫瘍免疫作用を維持することが期待される。
- 開発段階: 固形がん(単剤・併用):フェーズ 1/2(米国)

**TP-0184**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- 本剤は、TGFβ 受容体スーパーファミリーに属する ALK2 および ALK5 などのキナーゼ阻害作用を有する。骨髄異形成症候群では ALK5 経路が活性化し、赤血球分化の異常を引き起こす。本剤は、キナーゼ阻害を介して抗腫瘍作用を示すことが期待される。
- 開発段階:  
骨髄異形成症候群に伴う貧血(単剤):フェーズ 1/2(米国)  
固形がん(単剤):フェーズ 1(米国)



**DSP-0337**

起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、ナパブカシンの低分子経口プロドラッグである。胃内での安定性や分散性に優れ、腸内でナパブカシンに変換されて消化管吸収され、薬理作用を発揮することが期待される。
- ・ 開発段階: 固形がん(単剤): フェーズ 1(米国)

**TP-1287**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、サイクリン依存性キナーゼ(CDK)9 を阻害する低分子経口剤である。非臨床試験において、良好な経口バイオアベイラビリティが示されるとともに、酵素により切断され CDK9 阻害作用を有する alvocidib を生成することが示された。経口投与により長期投与が可能となり、持続的な CDK9 阻害が期待される。
- ・ 開発段階: 固形がん(単剤): フェーズ 1(米国)

**TP-3654**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、PIM(proviral integration site for Moloney murine leukemia virus)キナーゼ阻害を介して炎症性シグナル経路を抑制する。PIM キナーゼは、様々な血液がんおよび固形がんにおいて過剰発現し、がん細胞のアポトーシス回避、腫瘍増殖の促進につながる可能性がある。
- ・ 開発段階:  
固形がん(単剤): フェーズ 1(米国)  
骨髄線維症(単剤・併用): フェーズ 1(米国)

**TP-1454**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、PKM2(ピルビン酸キナーゼ M2)活性化を介してがん細胞の増殖を抑制するとともに、がん微小環境中の免疫状態を改善する。PKM2 は、がん細胞では 2 量体として存在するが、本剤は PKM2 の 4 量体化(高活性型)を促進する。4 量体の形成によって PKM2 が活性化され、がん細胞の好む嫌気的条件を好气的条件へ転換する。これによりがん微小環境中の免疫抑制状態が改善され、免疫チェックポイント阻害薬との相乗効果が期待される。
- ・ 開発段階:  
固形がん(単剤・併用): フェーズ 1(米国)

**3. 再生・細胞医薬分野****RVT-802**

起源: デューク大学

- ・ 本剤は、先天性無胸腺症の小児患者に移植されて免疫応答機能を発揮するように作成された培養ヒト胸腺組織で、生涯に 1 回きりの再生医療である。本剤の主要な原料は、心臓病の小児の心臓手術中に除去されたヒト胸腺組織である。本剤は患者の大腿四頭筋に移植される。患者自身の骨髄由来幹細胞が本剤に移動して成熟 T 細胞に分化することによって、感染を防御する。本剤に反応する患者では多様な T 細胞集団が産生され、治療後 6~12 カ月で感染を防御するのに十分な胸腺機能が発達する。
- ・ 開発段階: 2019 年 4 月申請(米国)、2019 年 12 月審査結果通知(CRL)を受領(米国)

**他家 iPS 細胞由来医薬品**

- ・ 当社は産学の連携先と、加齢黄斑変性、パーキンソン病、網膜色素変性、脊髄損傷を対象に、他家(健康人)iPS 細胞を用いた再生・細胞医薬事業を推進している。
- ・ 開発段階:

開発番号	連携先	予定適応症	開発地域	開発段階
—	京都大学 iPS 細胞研究所	パーキンソン病	日本	フェーズ 1/2 (医師主導治験)
HLCR011	理化学研究所・ヘリオス	加齢黄斑変性	日本	治験開始に向けて準備中

#### 4. その他の領域

##### ビベグロン

起源: Merck Sharp & Dohme 社、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、1 日 1 回経口投与の低分子  $\beta 3$  アドレナリン受容体作動薬である。膀胱の  $\beta 3$  アドレナリン受容体に選択的に作用し、膀胱を弛緩させることで、蓄尿機能を高め、過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿および切迫性尿失禁の症状を改善する。
- ・ 開発段階:  
過活動膀胱: 2019 年 12 月申請(米国)  
前立腺肥大症を伴う過活動膀胱: フェーズ 3(米国)  
過敏性腸症候群関連疼痛: フェーズ 2(米国)

##### レルゴリクス

起源: 武田薬品工業(株)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、1 日 1 回経口投与の低分子 GnRH(ゴナドトロピン放出ホルモン) 受容体阻害剤である。前立腺がんの発生に關与する精巢のテストステロンならびに子宮筋腫や子宮内膜症の成長を刺激することが知られている卵巣のエストラジオールの産生を抑制する。Myovant 社は、前立腺がん向けには単剤の錠剤(120mg)を、子宮筋腫および子宮内膜症向けには配合剤(レルゴリクス 40mg+エストラジオール 1.0mg+酢酸ノルエチンドロン 0.5mg)を開発している。
- ・ 開発段階:  
子宮筋腫: 2020 年 3 月申請(欧州)、2020 年 5 月申請(米国)  
前立腺がん: 2020 年 4 月申請(米国)  
子宮内膜症: フェーズ 3(米国)

##### イメグリミン塩酸塩(PXL008)

起源: Poxel 社、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、ミトコンドリアの機能を改善するという独自のメカニズムを有しており、また、2 型糖尿病治療において重要な役割を担う 3 つの器官(膵臓・筋肉・肝臓)に作用し、グルコース濃度依存的にインスリン分泌を促進するとともに、インスリン抵抗性を改善、糖新生を抑制することで血糖降下作用を示すと考えられる。
- ・ 開発段階: 2 型糖尿病 2020 年 7 月申請(日本)(Poxel 社との共同開発)

##### rodatristat ethyl

起源: Karos Pharmaceuticals 社、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、中枢に移行することなく末梢のセロトニン産生を阻害するように設計されたトリプトファン水酸化酵素(TPH)阻害剤のプロドラッグである。過剰なセロトニン産生によって引き起こされる、肺動脈性肺高血圧症(PAH)やサルコイドーシスなどの疾患の進行を抑制または病状を改善させると考えられる。
- ・ 開発段階: 肺動脈性肺高血圧症(PAH): フェーズ 2(米国)

##### MVT-602

起源: 武田薬品工業(株)、剤形: 経口剤

- ・ 本剤は、オリゴペプチドキスペプチン 1 受容体アゴニストである。視床下部の神経細胞に存在するキスペプチンが活性化されると視床下部からの GnRH(ゴナドトロピン放出ホルモン)の分泌が促進されると推測されるが、キスペプチンを刺激し続けることによって、最終的に GnRH が枯渇し、下流のシグナル伝達が遮断されることが考えられる。それによって、卵巣の成熟に必要な黄体形成ホルモン(LH)を増加させると予想される。Myovant 社は体外受精を受けている不妊症の女性のためのホルモン製剤の一つとなるように本剤を開発している。本剤は、GnRH を刺激した後に採卵前の卵成熟を引き起こす LH の分泌を増加させると考えられている。
- ・ 開発段階: 不妊症: フェーズ 2(ドイツ)

##### URO-902

起源: Ion Channel Innovation 社、剤形: 注射剤

- ・ 本剤は、経口治療薬で効果不十分な過活動膀胱患者のための新規遺伝子治療である。本剤は、Maxi-K チャンネルのポア(細孔)を形成するサブユニットをコードするヒト cDNA が組み込まれたプラスミドベクターである。筋細胞に Maxi-K チャンネルを発現させることで、細胞膜を通過するカリウムイオンの流れを増加させ、平滑筋細胞の興奮を抑制すると推測される。本メカニズムにより、排尿筋の過活動が正

常化され、過活動膀胱の諸症状が軽減される可能性がある。

- ・ 開発段階：過活動膀胱：フェーズ 2(米国)

## 5. フロンティア事業

### **SMC-01(糖尿病管理指導用モバイルアプリケーション)(医療機器)**

起源：(株)Save Medical

- ・ 本アプリは、糖尿病の非薬物療法の基本である生活習慣(食事・運動・体重)や指標(服薬・血圧・血糖値)などを管理することにより、患者の行動変容を促し、臨床的指標が改善されることを目指している。一般的なヘルスケアアプリに対し、本アプリは医師の指導下で利用されることにより、医師と患者が協働して治療と行動変容を継続していくことが期待される。
- ・ 開発段階：2 型糖尿病：フェーズ 3(日本)(株)Save Medical との共同開発)

以 上