

## 2020年度(2021年3月期)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

2021年5月12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 実績	2020年度 実績	前期比 増減率%	2021年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	4,828	5,160	6.9	5,780	12.0
売上原価 *1	1,283	1,375	7.1	1,560	13.5
売上総利益	3,544	3,785	6.8	4,220	11.5
販売費及び一般管理費 *1	1,900	2,118	11.5	2,630	24.2
研究開発費 *1	926	971	4.8	950	△ 2.1
その他の収益・費用 *2	2	△0		-	
<b>コア営業利益</b>	720	696	△3.3	640	△ 8.0
条件付対価公正価値の変動額(△:損)	485	225		△10	
その他の非経常項目(△:損) *3	△372	△208		△20	
<b>営業利益</b>	832	712	△14.4	610	△ 14.4
<b>当期利益</b>	359	368	2.5	非開示	
親会社の所有者に帰属する 当期利益	408	562	38.0	410	△ 27.1
基本的1株当たり当期利益(円)	102.58	141.50		103.20	
親会社所有者帰属持分 当期利益率(ROE)	7.9%	10.1%		6.9%	
投下資本利益率(ROIC)	3.3%	3.1%		非開示	
連結配当性向	27.3%	19.8%		27.1%	

2. 連結損益計算書(フルベース)	2019年度 実績	2020年度 実績	前期比 増減率%
売上収益	4,827	5,160	6.9
売上原価	1,297	1,378	6.2
売上総利益	3,531	3,782	7.1
販売費及び一般管理費	1,543	1,904	23.3
研究開発費	1,151	1,327	15.3
その他の収益・費用	△ 4	161	
<b>営業利益</b>	832	712	△ 14.4
金融収益・費用	7	66	
<b>税引前利益</b>	839	779	△ 7.3
法人所得税	480	410	
<b>当期利益</b>	359	368	2.5
親会社の所有者に帰属する当期利益	408	562	38.0

\*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 実績	2020年度 実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	461	1,356	
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 3,127	89	
財務活動によるキャッシュ・フロー	2,311	△ 572	
現金及び現金同等物の期末残高	1,017	1,937	

4. 為替換算レート	2019年度		2020年度		2021年度 想定レート	為替感応度(2021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	108.8	108.7	110.7	106.1	110.0	32	△ 2
円/元	15.3	15.6	16.9	15.7	16.5	18	5

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	2019年度 実績	2020年度 実績	前期比 増減額	2021年度 予想	前期比 増減額	(億円)
設備投資額	120	<b>127</b>	7	120	△ 7	
有形固定資産償却費	105	<b>106</b>	1	101	△ 5	
無形資産償却費	69	<b>120</b>	52	339	219	
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	44	<b>96</b>	51	312	216	

(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。

2021年度 of 主な設備投資計画(継続中)

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 実績	2020年度 実績	増減額	増減率%	
売上収益	4,828	5,160	332	6.9	← 日本 128
海外売上	3,078	3,273	195	6.3	← 北米 192 △ 69
海外売上比率	63.8%	63.4%			← 中国 △ 8 1
売上原価	1,283	1,375	91	7.1	← 海外その他 24
売上原価率	26.6%	26.6%			← その他 △ 5
売上総利益	3,544	3,785	240	6.8	
販売費及び一般管理費	1,900	2,118	218	11.5	← うちスミトバント +399
人件費	807	1,001	194	24.0	← うちスミトバント +222
広告宣伝費	227	196	△ 31	△ 13.8	
販売促進費	151	178	27	18.2	
減価償却費	113	167	54	48.2	
その他	602	576	△ 26	△ 4.4	
研究開発費	926	971	45	4.8	← うちスミトバント +155
研究開発費売上収益比率	19.2%	18.8%			
その他の収益・費用	2	△ 0	△ 2		
コア営業利益	720	696	△ 24	△ 3.3	
条件付対価公正価値 の変動額 (△:損)	485	225	△ 260		
その他の非経常項目 (△:損)	△ 372	△ 208	164		
営業利益	832	712	△ 120	△ 14.4	
金融収益	36	92	56		
金融費用	29	26	△ 3		
税引前利益	839	779	△ 61	△ 7.3	
法人所得税	480	410	△ 70		← 前期:米国で繰延税金資産の取崩発生
当期利益	359	368	9	2.5	
親会社の所有者に帰属する 当期利益	408	562	155	38.0	

条件付対価変動額(△:損)	FY19	FY20
ロンハラマグネア関連	* 87	—
旧ホストン・バイオメディカル関連	* 262	* 170
旧トロ関連	* 136	* 55

\* 事業計画見直し等による公正価値の減少(費用戻入)

前期:仕掛研究開発の減損発生  
 当期:固定資産売却益および仕掛研究開発  
 の減損発生発生

## 2. コア営業利益への調整項目

(億円)

2020年度実績	フルベース	コアベース	調整額	主な調整項目
売上収益	5,160	5,160	-	
売上原価	1,378	1,375	△ 3	
売上総利益	3,782	3,785	3	
販売費及び一般管理費	1,904	2,118	214	・条件付対価公正価値の変動額 +225 ・事業構造改善費用 △9
研究開発費	1,327	971	△ 356	・減損損失 △354
その他の収益	177	△ 0	△ 177	・旧茨木工場売却益 △167
その他の費用	16	-	△ 16	
営業利益	712	696	△ 16	

## Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2020年度実績	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)	1,525	2,815	278	172	4,791	369	5,160
売上原価	775	208	54	57	1,094	281	1,375
売上総利益	751	2,607	225	115	3,698	87	3,785
販売費及び一般管理費	508	1,438	92	28	2,067	51	2,118
<b>コアセグメント利益</b>	<b>243</b>	<b>1,169</b>	<b>132</b>	<b>87</b>	<b>1,631</b>	<b>36</b>	<b>1,667</b>
研究開発費 *1					962	9	971
その他の収益・費用(コア内)*2					△ 0	△ 0	△ 0
<b>コア営業利益</b>					<b>669</b>	<b>27</b>	<b>696</b>

(億円)

2021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)	1,500	3,497	298	103	5,398	382	5,780
売上原価	781	385	55	46	1,267	293	1,560
売上総利益	719	3,112	243	57	4,131	89	4,220
販売費及び一般管理費	529	1,919	109	16	2,573	57	2,630
<b>コアセグメント利益</b>	<b>190</b>	<b>1,193</b>	<b>134</b>	<b>41</b>	<b>1,558</b>	<b>32</b>	<b>1,590</b>
研究開発費 *1					940	10	950
その他の収益・費用(コア内)*2					-	-	-
<b>コア営業利益</b>					<b>618</b>	<b>22</b>	<b>640</b>

(億円)

(参考)2019年度実績	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)	1,397	2,623	286	148	4,454	374	4,828
売上原価	650	240	54	50	995	289	1,283
売上総利益	747	2,383	232	98	3,460	84	3,544
販売費及び一般管理費	518	1,208	88	34	1,848	52	1,900
<b>コアセグメント利益</b>	<b>229</b>	<b>1,175</b>	<b>144</b>	<b>64</b>	<b>1,612</b>	<b>32</b>	<b>1,644</b>
研究開発費 *1					917	9	926
その他の収益・費用(コア内)*2					1	0	2
<b>コア営業利益</b>					<b>697</b>	<b>23</b>	<b>720</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

## 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 実績	2020年度 実績	増減額	増減率%	2021年度 予想
日本	1,397	1,525	128	9.2	1,500
北米	2,623	2,815	192	7.3	3,497
中国	286	278	△ 8	△ 2.7	298
海外その他	148	172	24	16.5	103

## 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 実績	2020年度 実績	増減額	増減率%	2021年度 予想
<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～	171	401	230	134.1	374
トルリシティ *2 [2型糖尿病治療剤]	300	339	39	13.0	382
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	162	162	0	0.0	179
リプレガル [ファブリー病治療剤]	133	138	5	3.4	138
メグルコ [2型糖尿病治療剤]	96	91	△ 5	△ 5.0	69
ラツォーダ [非定型抗精神病薬]'20.6～	—	24	24	—	67
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬]'19.9～	5	13	7	142.0	25
<b>その他品目</b>					
アムロジン [高血圧症・狭心症治療薬]	76	65	△ 11	△ 14.4	50
オーソライズドジェネリック品	74	80	6	7.6	101

\*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

## 2. 主要製品の販売状況②

(億円)

品目 [薬効]	2019年度 実績	2020年度 実績	増減額	増減率%	2021年度 予想
<b>北米</b>					
ラツーダ [非定型抗精神病薬]	1,895	<b>2,065</b>	170	9.0	2,204
プロバナ [COPD治療剤]	345	<b>291</b>	△ 54	△ 15.5	117
アプティオム [抗てんかん剤]	234	<b>257</b>	23	9.9	274
キンモビ [パーキンソン病に伴うオフ症状治療剤] '20.9~	—	<b>2</b>	2	—	31
<b>中国</b>					
メロベン [カルバペネム系抗生物質製剤]	241	<b>225</b>	△ 16	△ 6.5	225
<b>海外その他</b>					
メロベン [カルバペネム系抗生物質製剤]	81	<b>64</b>	△ 17	△ 20.6	57

## (参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2019年度 実績	2020年度 実績	増減額	増減率%	2021年度 予想
ラツーダ	1,743	<b>1,946</b>	203	11.6	2,004
プロバナ	317	<b>274</b>	△ 43	△ 13.5	106
アプティオム	215	<b>242</b>	27	12.6	249
キンモビ	—	<b>2</b>	2	—	28

## V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2020年 3月末	2021年 3月末	対20/3末 増減額
<b>資産</b>	<b>12,565</b>	<b>13,081</b>	<b>516</b>
(非流動資産)	<b>8,924</b>	<b>8,483</b>	<b>△ 441</b>
有形固定資産	657	650	△ 8
のれん	1,735	1,765	30
無形資産	4,210	3,834	△ 376
特許権・販売権	85	2,107	2,021
仕掛研究開発	4,055	1,659	△ 2,396
その他	70	68	△ 2
その他の金融資産	2,009	1,930	△ 79
その他の非流動資産	42	102	61
繰延税金資産	271	202	△ 69
(流動資産)	<b>3,641</b>	<b>4,598</b>	<b>957</b>
棚卸資産	794	922	128
営業債権及びその他の債権	1,345	1,359	14
その他の金融資産	287	295	8
その他の流動資産	155	85	△ 70
現金及び現金同等物	1,017	1,937	920
小計	3,598	4,598	1,000
売却目的で保有する資産	43	-	△ 43
<b>負債</b>	<b>6,207</b>	<b>6,599</b>	<b>393</b>
(非流動負債)	<b>1,242</b>	<b>3,818</b>	<b>2,576</b>
社債及び借入金	250	2,639	2,388
その他の金融負債	413	214	△ 199
退職給付に係る負債	239	151	△ 88
その他の非流動負債	72	530	458
繰延税金負債	268	284	17
(流動負債)	<b>4,965</b>	<b>2,781</b>	<b>△ 2,184</b>
借入金	2,730	100	△ 2,630
営業債務及びその他の債務	623	646	24
その他の金融負債	139	233	94
未払法人所得税	226	245	19
引当金	846	999	152
その他の流動負債	401	558	157
<b>資本</b>	<b>6,359</b>	<b>6,482</b>	<b>123</b>
資本金	224	224	-
資本剰余金	178	159	△ 20
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	4,573	5,087	513
その他の資本の構成要素	358	343	△ 15
親会社の所有者に帰属する持分	5,327	5,806	479
非支配持分	1,032	676	△ 356

2019年12月に取得したスミバント社の取得原価配分が2020年度第3四半期に確定したことにより、関連する2020年3月末の値を遡及修正しています。

のれん内訳	20/3	21/3
オンコロジー(SDPO)以外	1,496	1,523
オンコロジー(SDPO)関連	238	242

主な特許権	20/3	21/3
キンモビ(アホモルヒネ)	-	*513
オルゴビクス(レルゴリクス)	-	*623
ジェムテサ(ビヘクロン)	-	*913

\*仕掛研究開発からの振替による増加

主な仕掛研究開発	20/3	21/3
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	** -
旧トロ品目	261	**177
レルゴリクス	1,932	*1,332
ジェムテサ(ビヘクロン)	900	* -

\*特許権への振替による減少  
\*\*減損による減少

旧茨木工場売却完了

社債・借入金合計  
2,980 → 2,738劣後債発行と長期借入への借換により  
ブリッジローンを長期資金化

提携契約一時金により前受収益増加

条件付対価公正価値残高	20/3	21/3	今後の支払 総額(最大)
旧ホストン・バイオメディカル関連	174	* -	-
旧トロ関連	138	*83	\$370M
合計	312	83	

その他の金融負債(非流動・流動)の内数

\*事業計画見直し等に伴う公正価値の減少

提携契約一時金により前受収益増加

ユーロバント社完全子会社化



## 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	3Q	4Q
売上収益	1,175	1,131	1,264	1,257	1,339	1,276	1,333	1,212
売上原価	288	273	370	353	360	347	341	327
売上総利益	886	859	894	905	979	929	992	885
販売費及び一般管理費	463	424	498	514	478	458	521	660
研究開発費	200	210	202	314	257	235	225	254
その他の収益・費用(コア内)	0	0	1	0	△ 0	△ 0	0	△ 0
<b>コア営業利益</b>	<b>223</b>	<b>225</b>	<b>195</b>	<b>77</b>	<b>244</b>	<b>236</b>	<b>246</b>	<b>△ 30</b>
条件付対価に係る 公正価値の変動額(△:損)	185	233	△ 9	77	△ 12	13	△ 4	228
その他の非経常項目(△:損)	△ 3	△ 194	△ 39	△ 136	1	△ 6	159	△ 362
<b>営業利益</b>	<b>404</b>	<b>264</b>	<b>146</b>	<b>18</b>	<b>233</b>	<b>243</b>	<b>400</b>	<b>△ 163</b>
<b>四半期利益</b>	<b>67</b>	<b>236</b>	<b>136</b>	<b>△ 81</b>	<b>156</b>	<b>148</b>	<b>276</b>	<b>△ 211</b>
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	67	236	136	△ 32	183	190	330	△ 140

## VII. 主要な連結子会社の状況(2021年3月31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%	89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%	41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%	153名	サノビオン社、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
サノビオン・ファーマシューティカルズ・インク	1984/1	100%	*1,264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%	204名	がん領域の研究開発
スミトバント・バイオフィーマ・インク	2019/10	100%	72名	スミト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	53%	*405名	医療用医薬品(婦人科、前立腺がん)の研究開発、製造、販売
ユーロバント・サイエンシズ・リミテッド	2016/1	100%	*298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%	*24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%	*15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%	*21名	医療用医薬品(嚢胞性線維症(遺伝子治療))の研究開発
住友制薬(蘇州)有限公司	2003/12	100%	754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	2021/3/31
連結/個別	6,140	3,067	6,457
	3,023	<b>6,822</b>	<b>3,067</b>
<b>MR人数(コントラクトMR含む)</b>			
日本 マネージャー除く/総数	1,120	1,240	1,220
	1,340	<b>1,150</b>	<b>1,270</b>
米国 マネージャー除く/総数	720	820	650
	740	<b>* 720</b>	<b>* 840</b>
中国 マネージャー除く/総数	340	400	330
	400	<b>340</b>	<b>410</b>

\*スミトバント傘下の営業人員を含む

## Ⅷ. 株式の状況(2021年3月31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606,255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	49	95,166	23.92
金融商品取引業者	38	2,989	0.75
その他の法人	292	231,048	58.07
外国法人等	613	45,668	11.48
個人・その他(自己株式を含む)	23,389	23,027	5.78
合計	24,381	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)	31,715	7.98
稲畑産業株式会社	16,782	4.22
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	12,828	3.23
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)	4,145	1.04
大日本住友製薬従業員持株会	2,934	0.74
あいおいニッセイ同和損害保険株式会社	2,661	0.67

(注1) 持株比率は、自己株式(606,255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。

## Ⅹ. 開発状況表(2021年5月12日現在)

- この表には当社グループが日本・米国・中国・欧州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
SEP-363856	統合失調症	米国	フェーズ 3
		日本・中国	フェーズ 2/3(国際共同試験)
ラゾーダ (ルラシドン塩酸塩)	パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 2
	(新効能)双極 I 型障害うつ (新用法:小児)統合失調症	中国 日本	フェーズ 3 フェーズ 3
EPI-589	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
		日本	フェーズ 1
SEP-4199	双極 I 型障害うつ	米国・日本	フェーズ 2(国際共同試験)
DSP-6745	パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 1
SEP-378608	双極性障害	米国	フェーズ 1
DSP-3905	神経障害性疼痛	米国	フェーズ 1
SEP-378614	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1
SEP-380135	アルツハイマー病に伴うアジテーション	米国	フェーズ 1
DSP-1181	強迫性障害	日本	フェーズ 1
DSP-0038	アルツハイマー病に伴う精神病症状	米国	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	欧州	申請(2021/3)
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	米国	フェーズ 3(国際共同試験)
		日本	フェーズ 2(国際共同試験)
	固形がん	米国	フェーズ 1/2
TP-0903 (dubermatinib)	急性骨髄性白血病(AML)	米国	フェーズ 1/2(外部研究機関 主導治験)
DSP-0509	固形がん	米国	フェーズ 1/2
TP-0184	骨髄異形成症候群に伴う貧血	米国	フェーズ 1/2
TP-1287	固形がん	米国	フェーズ 1
TP-3654	骨髄線維症	米国	フェーズ 1
TP-1454	固形がん	米国	フェーズ 1
DSP-0390	固形がん	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)受領(2019/12)、再申請(2021/4)
他家 iPS 細胞由来ドー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
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)
ジェムテサ(ビベグロン)	(新効能)前立腺肥大症を伴う過活動膀胱	米国	フェーズ 3
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 (2 型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 2021 年 1 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
ロナセン (プロナンセリン)	(新用法:小児)統合失調症	日本	承認取得 (2021/3)	承認取得のため 表から削除
レルゴリクス	前立腺がん	欧州	申請中	申請(2021/3)
RVT-802	小児先天性無胸腺症	米国	申請中	再申請(2021/4)
SEP-363856	統合失調症	日本・中国	フェーズ 2/3 (国際共同試験)	開発段階変更
DSP-7888 (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)	膠芽腫	米国	フェーズ 3	
ラツーダ (ルラシドン塩酸塩)	(新用法:小児)統合失調症	日本	フェーズ 3	新規掲載
TP-0903 (dubermatinib)	急性骨髄性白血病(AML)	米国	フェーズ 1/2(外 部研究機関主導 治験)	
DSP-0038	アルツハイマー病に伴う精神病 症状	米国	フェーズ 1	
DSP-0390	固形がん	米国	フェーズ 1	
EPI-743 (バチキノン)	リー脳症	日本	フェーズ 2/3	
BBI608 (ナパブカシン)	結腸直腸がん、その他固形がん	米国・日本	フェーズ 3 フェーズ 1/2	開発中止のため 表から削除
DSP-2033 (alvocidib)	急性骨髄性白血病(AML)、 骨髄異形成症候群(MDS)	米国	フェーズ 2 フェーズ 1/2	
DSP-0337	固形がん	米国	フェーズ 1	自社開発中止の ため表から削除、 導出活動中
TP-0903 (dubermatinib)	固形がん	米国・日本	フェーズ 1	
TP-0184	固形がん	米国	フェーズ 1	試験終了のため 表から削除
TP-3654	固形がん	米国	フェーズ 1	

## X. 主な開発品のプロフィール(2021 年 5 月 12 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 2/3 (日本・中国)

#### **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 R 体と S 体の比率が 85:15 に設計されている。
- 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 選択的アンタゴニストであり、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アジテーション 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)

**DSP-0038** 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り、セロトニン 5-HT<sub>2A</sub> 受容体アンタゴニスト活性および 5-HT<sub>1A</sub> 受容体アゴニスト活性を有する。5-HT<sub>2A</sub> 受容体アンタゴニストおよび 5-HT<sub>1A</sub> 受容体アゴニスト活性を併せ持つことで強い抗精神病作用を有し、加えて焦燥・攻撃性・不安・うつ症状などのアルツハイマー病を含む認知症の種々の周辺症状にも幅広く効くことが期待される。また、本剤はドパミン D<sub>2</sub> 受容体拮抗作用がないことから、既存抗精神病薬に比べ高い安全性・忍容性が期待できる。
- ・ 開発段階:アルツハイマー病に伴う精神病症状 フェーズ 1(米国)

**2. がん領域**

**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)タンパク由来の免疫療法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:

予定適応症	併用薬	開発地域	開発段階	試験番号
膠芽腫(併用)	ベバシズマブ	米国	フェーズ 3	BBI-DSP7888-201G
		日本	フェーズ 2	
固形がん(併用)	ニボルマブ、ペムブロリズマブ	米国	フェーズ 1/2	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:急性骨髄性白血病 フェーズ 1/2(外部研究機関主導治験\*)(米国)  
\*米国の非営利団体 LLS (Leuchemia & Lymphoma Society) が主導する Beat AML 試験の 1 つの群

**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た抗腫瘍作用、ヘプシジン発現の減少、体内で利用可能な鉄の増加およびヘモグロビン正常化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)

**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: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條件を好氣的条件へ転換する。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)

**DSP-0390**

起源:自社、剤形:経口剤

- ・ 本剤はコレステロール生合成酵素の一種である EBP (Emopamil Binding Protein) 阻害剤である。EBP は、コレステロール生合成に関与する小胞体膜タンパク質である。EBP は細胞膜構造やシグナル伝達に重要なコレステロール生合成を調節しており、腫瘍の異常増殖に関わっている。EBP の阻害によってコレステロールを枯渇させ、抗腫瘍作用を示すことが期待される。
- ・ 開発段階:固形がん(単剤) フェーズ 1(米国)



### 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、2019 年 12 月審査結果通知(CRL)を受領、2021 年 4 月再申請(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

#### 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)受容体アンタゴニストである。前立腺がんの発生に関与する精巣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、前立腺がん向けに単剤の錠剤(120mg)で 2020 年 12 月に米国での承認を取得し、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:  
前立腺がん 2021 年 3 月申請(欧州)  
子宮筋腫 2020 年 3 月申請(欧州)、2020 年 5 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)

#### ジェムテサ(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を選択的に作用し、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。Urovant 社は過活動膀胱の適応症で 2020 年 12 月に米国で承認を取得した。
- 開発段階: (新効能)前立腺肥大症を伴う過活動膀胱 フェーズ 3(米国)

#### 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)アンタゴニスト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と考えられる。それによって、卵胞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 (2 型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、2 型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