

2021年度(2022年3月期)第1四半期決算(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.	開発状況表	9
IX.	主な開発品のプロフィール	12

2021年7月29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・目標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。
- 連結子会社であるマイオバント社はニューヨーク証券取引所に上場しており、当社グループはマイオバント社の発行済株式の約53%を保有しています。本資料にはマイオバント社に関する情報が含まれていますが、これらは同社による開示済の情報に基づいています。マイオバント社に関する詳細については、<https://www.myovant.com/> をご覧ください。
- 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

1. 連結損益計算書(コアベース)	(億円)				
	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	前同比 増減率%	2021年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	1,339	1,312	△2.0	5,780	12.0
売上原価 *1	360	385	7.0	1,560	13.5
売上総利益	979	927	△5.3	4,220	11.5
販売費及び一般管理費 *1	478	620	29.7	2,630	24.2
研究開発費 *1	257	224	△12.9	950	△ 2.1
その他の収益・費用 *2	△0	2		-	
コア営業利益	244	85	△65.0	640	△ 8.0
条件付対価公正価値の変動額(△:損)	△12	△1		△10	
その他の非経常項目(△:損) *3	1	△1		△20	
営業利益	233	83	△64.3	610	△ 14.4
四半期(当期)利益	156	8	△94.8	非開示	
親会社の所有者に帰属する 四半期(当期)利益	183	48	△73.7	410	△ 27.1
基本的1株当たり四半期(当期)利益(円)	45.96	12.09		103.20	
親会社所有者帰属持分 四半期(当期)利益率(ROE)	3.4%	0.8%		6.9%	

2. 連結損益計算書(フルベース)	(億円)		
	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	前期比 増減率%
売上収益	1,339	1,312	△ 2.0
売上原価	360	385	7.0
売上総利益	979	927	△ 5.3
販売費及び一般管理費	490	621	26.6
研究開発費	257	224	△ 12.9
その他の収益・費用	1	1	
営業利益	233	83	△ 64.3
金融収益・費用	△ 13	△ 3	
税引前四半期利益	220	80	△ 63.8
法人所得税	64	72	
四半期利益	156	8	△ 94.8
親会社の所有者に帰属する四半期利益	183	48	△ 73.7

*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:事業譲渡損益、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	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	5	△ 328	
投資活動によるキャッシュ・フロー	215	177	
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 93	△ 69	
現金及び現金同等物の期末残高	1,134	1,709	

4. 為替換算レート	2020年4-6月		2021年4-6月		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	107.7	107.6	110.6	109.5	110.0	32	△ 2
円/元	15.2	15.2	17.1	17.0	16.5	18	5

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q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	21	24	4	120	△ 7	
有形固定資産償却費	26	27	2	101	△ 5	
無形資産償却費	18	55	37	264	144	
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	12	48	37	237	141	

(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年度の主な設備投資計画

- (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
 (新規) 東京本社移転、総投資額16億円、2022年度完了予定

II. 連結損益計算書

1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	増減額	増減率%		増減	うち為替
売上収益	1,339	1,312	△ 27	△ 2.0	←	日本	△ 11
海外売上	852	830	△ 22	△ 2.6		北米	△ 27 +12
海外売上比率	63.6%	63.2%				中国	34 +7
海外その他						海外その他	△ 28
売上原価	360	385	25	7.0			
売上原価率	26.9%	29.3%					
売上総利益	979	927	△ 52	△ 5.3			
販売費及び一般管理費	478	620	142	29.7	←	うちスミバント	+123
人件費	231	277	46	20.0			
広告宣伝費	66	60	△ 6	△ 9.0			
販売促進費	24	43	19	78.5			
減価償却費	30	67	38	127.1			
その他	127	172	45	35.5			
研究開発費	257	224	△ 33	△ 12.9			
研究開発費売上収益比率	19.2%	17.1%					
その他の収益・費用	△ 0	2	2				
コア営業利益	244	85	△ 158	△ 65.0			
条件付対価公正価値 の変動額 (△:損)	△ 12	△ 1	12				
その他の非経常項目 (△:損)	1	△ 1	△ 3				
営業利益	233	83	△ 150	△ 64.3			
金融収益	6	6	△ 0				
金融費用	19	10	△ 10				
税引前四半期利益	220	80	△ 140	△ 63.8			
法人所得税	64	72	7				
四半期利益	156	8	△ 148	△ 94.8			
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	183	48	△ 135	△ 73.7			

条件付対価変動額(△:損)	20/1Q	21/1Q
旧ホスト・ハイテク関連	△ 6	-
旧トロ関連	△ 6	△ 1

2. コア営業利益への調整項目

(億円)

2021年度1Q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	1,312	1,312	-	
売上原価	385	385	-	
売上総利益	927	927	-	
販売費及び一般管理費	621	620	△ 1	・条件付対価公正価値の変動額 △1
研究開発費	224	224	-	
その他の収益	4	2	△ 2	
その他の費用	3	-	△ 3	
営業利益	83	85	2	

Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2021年度1Q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)	387	714	85	27	1,213	99	1,312
売上原価	200	80	16	13	309	76	385
売上総利益	187	634	69	14	905	23	927
販売費及び一般管理費	119	453	27	8	607	13	620
コアセグメント利益	67	181	43	6	298	10	308
研究開発費 *1					223	2	224
その他の収益・費用(コア内)*2					2	0	2
コア営業利益					77	9	85

(億円)

2020年度1Q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)	397	741	51	55	1,245	93	1,339
売上原価	204	54	8	24	290	70	360
売上総利益	194	688	43	31	956	23	979
販売費及び一般管理費	114	329	16	7	465	12	478
コアセグメント利益	80	359	27	24	490	11	501
研究開発費 *1					256	2	257
その他の収益・費用(コア内)*2					△ 0	0	△ 0
コア営業利益					234	9	244

(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
コアセグメント利益	190	1,193	134	41	1,558	32	1,590
研究開発費 *1					940	10	950
その他の収益・費用(コア内)*2					-	-	-
コア営業利益					618	22	640

*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 事業譲渡損益、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	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	増減額	増減率%	2021年度 予想	進捗率%
日本	397	387	△ 11	△ 2.8	1,500	25.8
北米	741	714	△ 27	△ 3.7	3,497	20.4
中国	51	85	34	66.3	298	28.6
海外その他	55	27	△ 28	△ 50.3	103	26.6

2. 主要製品の販売状況①

（仕切価ベース、億円）

品目 [薬効]	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	増減額	増減率%	2021年度 予想	進捗率%
日本						
プロモーション品						
エクア・エクメット [2型糖尿病治療剤]'19.11～	103	98	△ 5	△ 4.7	374	26.3
トルリシティ * [2型糖尿病治療剤]	84	88	4	5.3	382	23.1
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	43	43	1	1.4	179	24.1
リプレガル [ファブリー病治療剤]	35	35	0	1.0	138	25.3
メトグルコ [2型糖尿病治療剤]	25	21	△ 4	△ 14.7	69	30.4
ラソーダ [非定型抗精神病薬]'20.6～	5	14	9	167.1	67	20.7
ロナセンテプ [非定型抗精神病薬]'19.9～	3	5	2	78.5	25	18.6
その他品目						
アムロジン [高血圧症・狭心症治療薬]	17	15	△ 2	△ 13.1	50	29.8
オーソライズドジェネリック品	19	24	5	27.6	101	24.0

* 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]	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	増減額	増減率%	2021年度 予想	進捗率%
北米						
ラゾーダ [非定型抗精神病薬]	530	514	△ 17	△ 3.1	2,204	23.3
アプティオム [抗てんかん剤]	68	69	1	1.9	274	25.2
プロバナ [COPD治療剤]	78	56	△ 22	△ 28.3	117	47.6
キンモビ [パーキンソン病に伴うオド症状治療剤] '20.9~	—	2	2	—	31	7.4
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤] '21.1~	—	12	12	—	非開示	—
マイフェンブリー [子宮筋腫治療剤] '21.6~	—	1	1	—	非開示	—
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤] '21.4~	—	8	8	—	非開示	—
中国						
メロペン [カルバペネム系抗生物質製剤]	39	66	27	67.6	225	29.4
海外その他						
メロペン [カルバペネム系抗生物質製剤]	25	18	△ 7	△ 27.9	57	31.0

(参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2020年度 1Q実績	2021年度 1Q実績	増減額	増減率%	2021年度 予想	進捗率%
ラゾーダ	493	469	△ 24	△ 4.8	2,004	23.4
アプティオム	63	63	0	0.2	249	25.4
プロバナ	72	51	△ 21	△ 29.5	106	48.0
キンモビ	—	2	2	—	28	7.5
オルゴビクス	—	11	11	—	非開示	—
マイフェンブリー	—	1	1	—	非開示	—
ジェムテサ	—	7	7	—	非開示	—

V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2021年 3月末	2021年 6月末	対前年度末 増減額
資産	13,081	12,767	△ 314
(非流動資産)	8,483	8,341	△ 143
有形固定資産	650	641	△ 9
のれん	1,765	1,763	△ 2
無形資産	3,834	3,806	△ 28
特許権・販売権	2,107	3,456	1,349
仕掛研究開発	1,659	281	△ 1,378
その他	68	69	1
その他の金融資産	1,930	1,809	△ 122
その他の非流動資産	102	105	2
繰延税金資産	202	217	16
(流動資産)	4,598	4,426	△ 172
棚卸資産	922	952	30
営業債権及びその他の債権	1,359	1,552	193
その他の金融資産	295	113	△ 182
その他の流動資産	85	100	15
現金及び現金同等物	1,937	1,709	△ 228
負債	6,599	6,380	△ 219
(非流動負債)	3,818	3,812	△ 6
社債及び借入金	2,639	2,632	△ 7
その他の金融負債	214	194	△ 20
退職給付に係る負債	151	152	1
その他の非流動負債	530	571	41
繰延税金負債	284	264	△ 21
(流動負債)	2,781	2,568	△ 213
借入金	100	100	0
営業債務及びその他の債務	646	657	11
その他の金融負債	233	220	△ 14
未払法人所得税	245	78	△ 167
引当金	999	978	△ 21
その他の流動負債	558	535	△ 23
資本	6,482	6,387	△ 95
資本金	224	224	—
資本剰余金	159	176	17
自己株式	△ 7	△ 7	—
利益剰余金	5,087	5,100	13
その他の資本の構成要素	343	248	△ 95
親会社の所有者に帰属する持分	5,806	5,740	△ 65
非支配持分	676	647	△ 30

のれん内訳	21/3	21/6
オンコロジー(SDPO)以外	1,523	1,521
オンコロジー(SDPO)関連	242	242

主な特許権	21/3	21/6
キンモビ(アホモルヒネ)	513	501
オルゴビクス(レルゴリクス)	623	613
マイフェンブリー(レルゴリクス)	—	*1,322
ジェムテサ(ビヘクロン)	913	897

*仕掛研究開発からの振替による増加

主な仕掛研究開発	21/3	21/6
旧トレロ品目	177	177
レルゴリクス	1,332	* —

*特許権への振替による減少

←— マイフェンブリー承認一時金 +111

←— 短期貸付金の減少等

社債・借入金合計
2,738 → 2,731

条件付対価公正価値残高	21/3	21/6	今後の支払 総額(最大)
旧トレロ関連	83	73	\$360M
その他の金融負債(非流動・流動)の内数			

VI. 四半期業績の推移

コアベース	2020年度				2021年度
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q
売上収益	1,339	1,276	1,333	1,212	1,312
売上原価	360	347	341	327	385
売上総利益	979	929	992	885	927
販売費及び一般管理費	478	458	521	660	620
研究開発費	257	235	225	254	224
その他の収益・費用(コア内)	△ 0	△ 0	0	△ 0	2
コア営業利益	244	236	246	△ 30	85
条件付対価に係る 公正価値の変動額(△:損)	△ 12	13	△ 4	228	△ 1
その他の非経常項目(△:損)	1	△ 6	159	△ 362	△ 1
営業利益	233	243	400	△ 163	83
四半期利益	156	148	276	△ 211	8
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	183	190	330	△ 140	48

VII. 主要な連結子会社の状況(2021年6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%	208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%	98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%	42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
スミトダインニッポンファーマアメリカ・インク	2009/7	100%	166名	持株会社、一般管理業務のシェアードサービス
サノビオン・ファーマシューティカルズ・インク	1984/1	100%	*1,251名	医療用医薬品の製造、販売
スミトダインニッポンファーマオノロジー・インク	2006/11	100%	193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%	79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%	*538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%	*290名	医療用医薬品(泌尿器科疾患)の研究開発、製造、販売
エンジバント・セラピューティクス・リミテッド	2016/1	100%	*26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%	*21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%	*25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%	764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)	2020/3/31		2021/3/31		2021/6/30	
連結/個別	6,457	3,023	6,822	3,067	7,032	3,109
MR人数(コントラクトMR含む)						
日本 マネージャー除く/総数	1,220	1,340	1,150	1,270	1,130	1,230
米国 マネージャー除く/総数	650	740	* 720	* 840	* 830	* 960
中国 マネージャー除く/総数	330	400	340	410	330	410

*スミトバント傘下の営業人員を含む

VIII. 開発状況表(2021 年 7 月 29 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 (ulotaront)	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	中国	フェーズ 3
EPI-589	(新用法:小児)統合失調症	日本	フェーズ 3
	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/ ネラチモチドトリフルオロ酢酸塩)	膠芽腫	米国・日本	フェーズ 3(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 (guretolimod)	固形がん	米国	フェーズ 1/2
TP-0184 (itacnosertib)	骨髄異形成症候群に伴う貧血	米国	フェーズ 1/2
DSP-5336	血液がん	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・日本	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
マイフェンブリー (レルゴリクス)	(新効能)子宮内膜症	米国	申請(2021/7)
レファムリン	細菌性市中肺炎	中国	フェーズ 3
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 5 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
マイフェンブリー (レルゴリクス)	子宮筋腫	米国	承認取得 (2021/5)	承認取得のため 表から削除
ライエクオ (レルゴリクス)	子宮筋腫	欧州	承認取得 (2021/7)	
ツイミーグ (イメグリミン塩酸塩)	2 型糖尿病	日本	承認取得 (2021/6)	
マイフェンブリー (レルゴリクス)	子宮内膜症	米国	申請(2021/7)	申請
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・日本	フェーズ 3	日本の開発段階 変更
DSP-5336	血液がん	米国	フェーズ 1/2	新規掲載
レファムリン	細菌性市中肺炎	中国	フェーズ 3	
DSP-0390	固形がん	米国・日本	フェーズ 1	日本を追加

Ⅷ. 主な開発品のプロフィール(2021 年 7 月 29 日現在)

1. 精神神経領域

ulotaront(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、セロトニン 5-HT_{1A} 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 D₂ またはセロトニン 5-HT_{2A} 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 社と共同で本剤を見出した。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 D₂ 受容体に比べてセロトニン 5-HT₇ 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-HT₇ 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 D₂ 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_{2A} とセロトニン 5-HT_{2C} 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 D₂ 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_{1A} 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_{1A} 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_{2A} 受容体アンタゴニスト活性および 5-HT_{1A} 受容体アゴニスト活性を有する。5-HT_{2A} 受容体アンタゴニストおよび 5-HT_{1A} 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 D₂ 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

アダグラモチド酢酸塩／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

- ・ 本剤は、WT1(Wilms' tumor gene 1)タンパクをターゲットにした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	ベバシズマブ	米国・日本	フェーズ 3	BBI-DSP7888-201G
固形がん	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(Leukemia & Lymphoma Society)が主導する Beat AML 試験の 1 つの群

guretolimod (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:固形がんフェーズ 1/2(米国)

itacnosertib (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 フェーズ 1/2(米国)

DSP-5336

起源:自社(京都大学との共同研究)、剤形:経口剤

- ・ 本剤はメニンタンパク質と MLL (mixed-lineage leukemia) タンパク質との結合を阻害する低分子経口剤である。MLL 再構成や NPM1 遺伝子変異を有する急性白血病では、メニンと MLL の結合による、造血幹細胞の維持に必要な遺伝子の異常発現が認められ、急性白血病の発症・維持に関連しているといわれている。本剤は、非臨床試験において、メニンと MLL の結合を阻害することにより、それらの遺伝子の発現減少を介した抗腫瘍作用が示されている。
- ・ 開発段階:血液がん 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 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 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 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 フェーズ1(米国・日本)

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、子宮筋腫向けに配合剤(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)で2021年5月に、それぞれ米国で承認を取得した。子宮内膜症向けには配合剤を米国で申請している。
- ・ 開発段階:
前立腺がん 2021年3月申請(欧州)
(新効能)子宮内膜症 2021年7月申請(米国)

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 β_3 アドレナリン受容体作動薬である。膀胱の β_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。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)

レファミリン

起源: Nabriva 社、剤形: 経口剤、注射剤

- ・ 本剤は、プレウロムチリン系の抗菌薬であり、既存の抗菌薬とは異なる作用機序を有する新規の感染症治療薬である。本剤は細菌の成長に必要な細菌タンパク質の合成を阻害するように設計されており、他の抗生物質クラスとは異なる分子部位に、高い親和性と高い特異性をもって結合する。米国では、2019年にNabriva社より発売されている。
- ・ 開発段階: 細菌性市中肺炎 フェーズ3(中国)

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