



Corporate Presentation

事業計画及び成長可能性に関する事項

免責事項

本資料は、そせいグループ株式会社およびその子会社（以下、総称して「当社グループ」）に関する本資料作成時の一般的な情報を記載しています。本資料は、情報提供を目的としたものであり、有価証券の投資勧誘や投資アドバイスとして解されるべきものではありません。本資料は、受領者の具体的な投資目的、財務状況、または特定のニーズに合わせて作成されたものではありません。また、第三者による有価証券の評価またはその募集の根拠を提供することを意図しておらず、何らかの有価証券の申込または購入を推奨するための資料ではありません。

本資料の情報は、要約であり全情報ではありません。一部の情報は、公開情報源から入手されています。

本資料には、1933年の米国証券法のセクション27A（改定を含む）および1934年の米国証券取引所法のセクション21E（改定を含む）で定義されている「将来予測に関する記述」が含まれています。「信じる」、「期待する」、「予測する」、「意図する」、「計画する」、「目指す」、「見積もる」、「予定である」、「可能性がある」、およびこれらと同様の表現は、将来予測に関する記述であることを示しています。本資料に含まれている過去の事実以外のすべての記述は、将来の経営に関する当社グループの財務状況、事業戦略、経営計画および目標（当社の製品に関わる開発計画および目標を含む）を含め（ただし、それだけに限定されない）、将来予測に関する記述です。当該将来予測に関する記述には、既知および未知のリスク、不確実性、その他の要因が含まれているため、当社グループの実際の結果、業績、または実績は、当該将来予測に関する記述に含まれたり示唆されたりしている将来の結果、業績、または実績と大きく異なる場合があります。当該将来予測に関する記述は、当社グループの現在と将来の事業戦略および将来の事業環境に関する数多くの想定に基づいています。当社グループの実際の結果、業績、または実績と将来予測に関する記述の内容とに大きな違いをもたらす重要な要因として、特に製品の創業と開発に伴うリスク、臨床試験に関わる不確実性、期待よりも遅い被験者の募集、患者に対する当社グループの製品の投与に起因する予期しない安全性の課題、製品の製造に関わる不確実性、当社グループの製品の市場の受け入れ不足、成長を管理する当社グループの能力欠如、当社グループの事業分野および市場に関わる競争環境、適切な資格を有するスタッフを確保・維持する当社グループの能力欠如、当社グループの特許および所有権の法的強制力または保護の欠如、当社グループと関係会社の関係、当社グループの製品を陳腐化させうる技術の変化および発展、その他の要因が挙げられます。これら要因には、東京証券取引所および日本の金融庁へ提出された当社グループの開示済み報告書に記載された要因が含まれますが、それだけに限定されません。当社グループは、将来予測に関する記述に含まれている期待および想定は当社グループの経営陣が現在入手できる情報に適切に基づいていると考えていますが、一部の将来予測に関する記述は、結果として不正確となりうる将来の出来事に関する想定に基づいています。将来予測に関する記述は、本資料の日付の時点のものです。

本資料は、何らかの有価証券の勧誘を構成するものではありません。本資料およびその内容は、いかなる契約または確約の根拠となりません。本資料の受領者は、本要約の内容を法律、税金、または投資のアドバイスと解釈してはならず、それに関しては自己のアドバイザーへ相談すべきです。

本資料およびその内容は機密情報であり、当社グループの書面による事前同意を得ることなく、全部または一部を複製、公開、その他の形で配布してはなりません。当該資料は、いずれかの司法管轄区または国の個人または組織に対して現地の法律または規制に違反して配布される、またはそれにより使用されることを意図していません。

本資料には、非GAAP財務データが含まれています。本資料に含まれている非GAAP財務データは、IFRSに従って計算された財務実績のデータではなく、IFRSに従って決定される利益または営業利益の差し替えまたは代用、業績の指標、または営業活動により生み出されるキャッシュフローの差し替えまたは代用、または流動性の基準として捉えるべきではありません。非GAAP財務データは、IFRSに従って報告された当企業の実績の分析の代用としてではなく、それに追加して扱うべきです。

本資料の「会計年度」は、2018年1月1日より前の期間に関しては各年の4月1日から翌年の3月31日までの12カ月間および2017年4月1日から2017年12月31日までの9カ月間を意味します。当企業は、2018年1月1日以降、会計年度を1月1日に始まる12カ月間に変更している。本資料で言う「会計年度」は、それに従って解釈すべきです。

なお、当資料のアップデートは今後、本決算後の2022年2月頃を目途として開示を行う予定です。また、年次のアップデートを基本方針としますが、パイプラインの進捗等、重要と思われる事象が発生した場合には適宜更新を行います。

「Sosei Heptares」は、東京証券取引所に上場しているそせいグループ株式会社のコーポレートブランドです。「そせい」、「Heptares」、当社グループのロゴおよびStaR®は、当社グループの商標または登録商標です。

目次

- 1 当社事業の概略
- 2 製薬産業の全体像
- 3 収益構造と2020年度連結業績
- 4 内部成長プラン
- 5 外部成長プラン
- 6 事業目標
- 7 認識するリスクおよび対応策
- 8 参考資料

注:本資料は、当社に関する情報の提供を目的とするためのものであり、投資勧誘を目的に作成されたものではありません。また、本資料に記載された内容は、資料作成時点での当社の判断であり、その情報の正確性を保証するものではありません。投資を行なうに際しては、投資家ご自身の判断で行なうようお願いいたします。



1

当社事業の概略

そーせいグループの沿革

国内開発の進展と海外企業の買収で成長する、日本発のバイオベンチャー

CEO田村により設立



英国のバイオ医薬品企業
アラキス社を買収し、COPD
治療薬をパイプラインに追加



1990

2004

2005

2015

現在



東京証券取引所マザーズに上場
(証券コード:4565)



GPCR創薬にフォーカスした
英国のバイオ医薬品企業
ヘプタレス社を買収

マネジメントチーム

製薬産業における豊富な経験を有する経営陣とSAB

取締役

田村 真一
取締役会会長

遠山 友寛
独立社外取締役

加賀 邦明
独立社外取締役

Dr. デビッド・ロブリン
独立社外取締役

永井 智亮
独立社外取締役

ロルフ・ソダストロム
独立社外取締役

執行役



田村 真一
代表執行役社長CEO

Genentech Sosei



Dr. マルコム・ウィアー
執行役副社長

gsk inpharmatica HEPTARES therapeutics



クリス・カーギル
執行役CFO

KPMG J.P.Morgan



Dr. ティム・タスカー
執行役 最高医療責任者

gsk evotec HEPTARES therapeutics



吉住 和彦
執行役 最高コンプライアンス責任者



安井 忠良
執行役 株式会社そせい代表取締役社長

シニアマネジメント



Dr. マイルス・コングレブ
チーフ・サイエンティフィック・オフィサー

gsk astex HEPTARES therapeutics



Dr. ロブ・クック
チーフ・テクノロジー・オフィサー

gsk HEPTARES therapeutics



ジェイムス・テイラー
チーフ・ビジネス・オフィサー

AstraZeneca Summit therapeutics cellzome gsk



Dr. バリー・ケニー
シニア・ビジネス・アドバイザー

Pfizer BioFocus PARADIGM THERAPEUTICS Takeda HEPTARES therapeutics

科学諮問委員会 (SAB)

Dr. デビッド・ロブリン
委員長

Summit therapeutics Pfizer

Dr. ピーター・バーンスアイン

AstraZeneca

Dr. カエターノ・レイス・エ・ソウサ

Imperial College London

Prof. エド・ブルモア

UNIVERSITY OF CAMBRIDGE gsk

Dr. ダリル・シュエップ

Lilly MERCK

Prof. リチャード・ヘンダーソン

MRC Laboratory of Molecular Biology HEPTARES therapeutics

Dr. ロベルト・ソラーリ

Imperial College London gsk MRC Medical Research Council

Dr. ポール・リースン

AstraZeneca gsk MERCK

Dr. クリス・テート

MRC Laboratory of Molecular Biology HEPTARES therapeutics

Prof. キース・ピーターズ

UNIVERSITY OF CAMBRIDGE

アンデルス・ツルグレン

Bristol-Myers Squibb

日本と英国に拠点を持つバイオベンチャー

特に2015年に買収したヘプタレス社により成長を加速




ヘプタレス社

GPCR中心の創薬に特化

 150+ 従業員数	 340+ 構造解析数	 +15 提携契約	 +700M 提携による収益 ¹	 +7Bn ディール総額 ²
--	---	---	---	---


(株)そーせい

国内での開発・販売に特化

 15+ 従業員数	 2-3 開発可能数/年	 2 承認実績
---	--	---

自社で前臨床～臨床試験(第I相)まで進めた後にパートナーに導出

開発品を導入し日本で後期開発

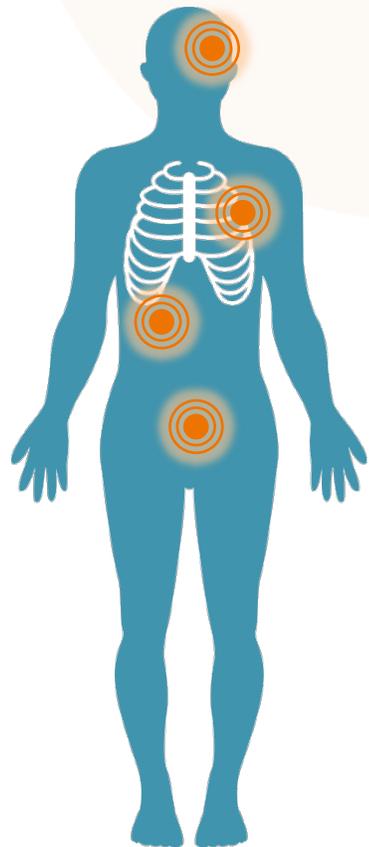
¹2005年から2020年の間に締結したすべての提携契約(既に終了している契約を含む)において受領した一時金、マイルストーン、ロイヤリティ、研究資金を含む。

²2005年から2020年までの(終了・活動停止中の提携を含む)すべての提携が対象。

出所: 当社作成

GPCR (Gタンパク質共役受容体) とは何か？

現在までの創薬の歴史で最も巨大な創薬ターゲット群だが、未だに多くが未開拓



約400種類
GPCR
タンパク質

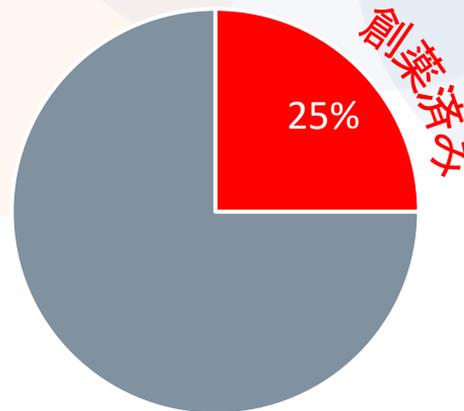
神経系

消化器系

がん免疫

希少/特殊

これまで

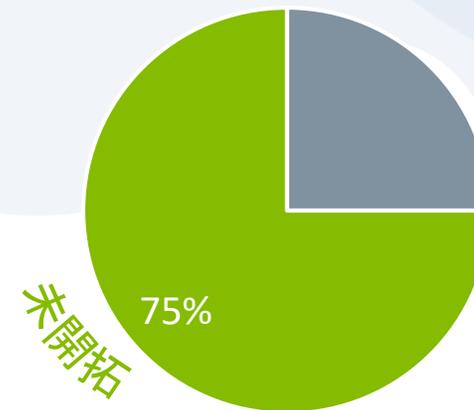


GPCRを標的としたブロックバスターの例



2018年に約20兆円の売上高*

これから



ファースト・イン・クラスのブロックバスターを狙う

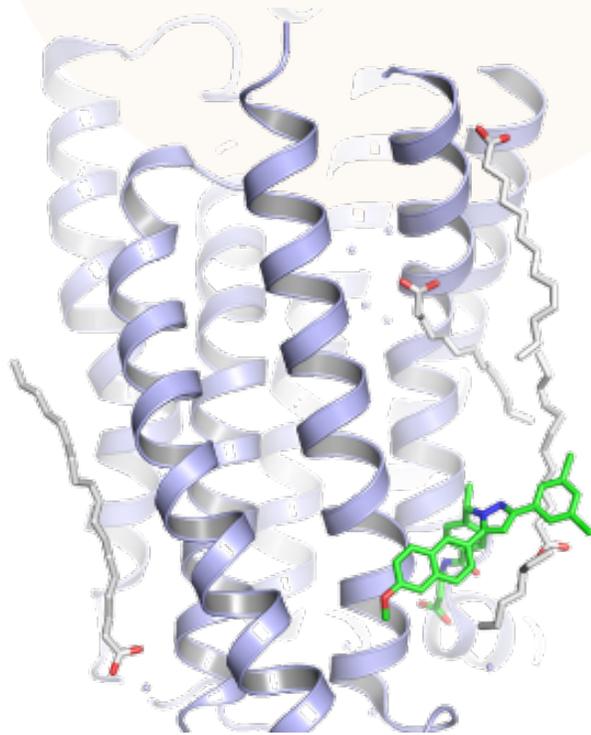


*Pharmacogenomics of GPCR Drug Targets

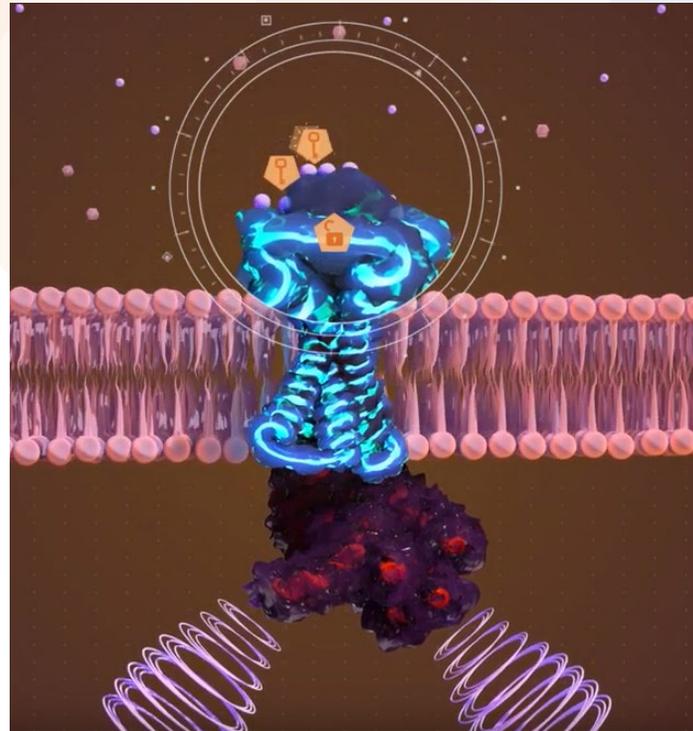
出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016; "Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews, 2017;等より当社作成

StaR[®] 技術*がより高度なGPCR創薬を実現

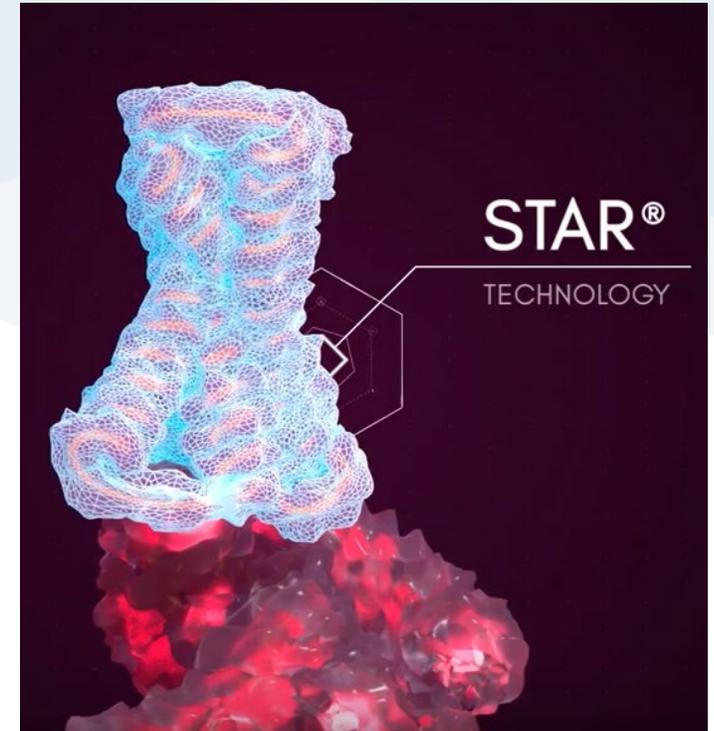
GPCRの構造を知ることで、より優れた高度な創薬が可能に



GPCRは複数の疾患領域に関わっており、幅広い治療の可能性



しかし、GPCRの構造が不安定であるという性質から創薬が困難

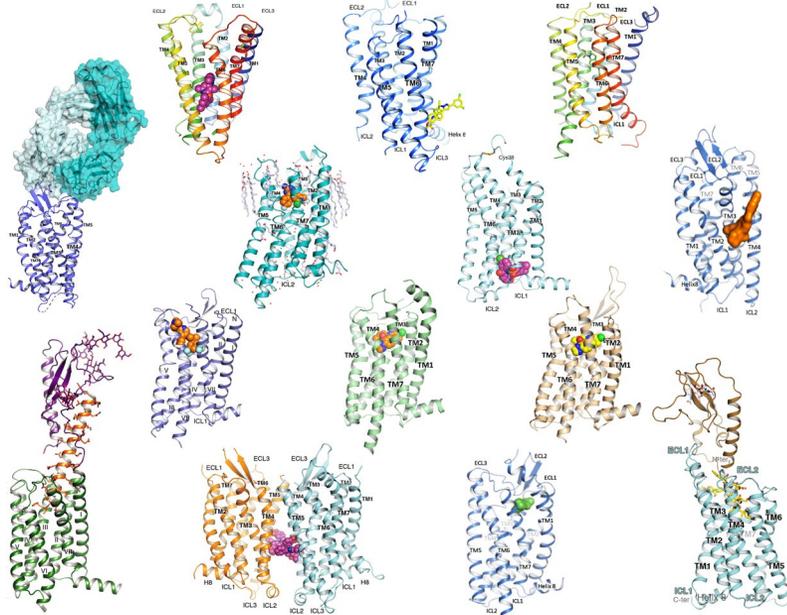


商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

*Stabilized receptor technology(タンパク質安定化技術)
出所: 当社作成



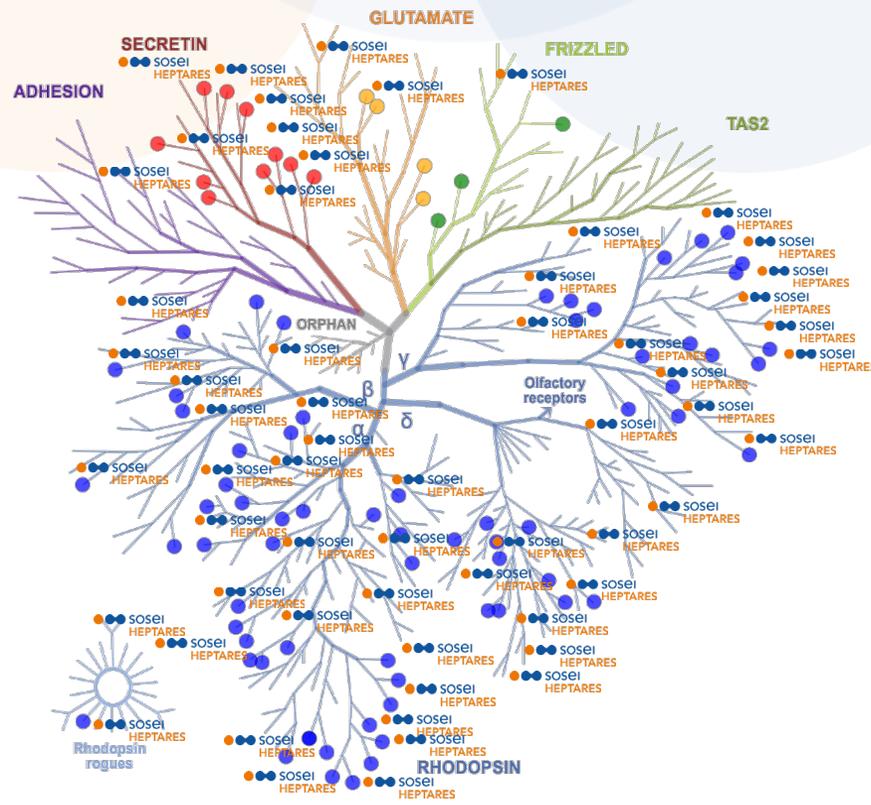
40以上の異なるGPCR創薬ターゲットから、340超の高解像度構造を解明し、GPCRにおける専門性を継続的に強化



40以上の異なる受容体において
340超の構造を解明
70超のStaRタンパク質を創製

平均解像度は世界平均より高い2.5Å
—これまでで最高の解像度

多数残る未開拓のGPCRターゲットに対してStaR®技術が創薬の可能性を拓く
この先も創薬のチャンスが続く



約400
GPCR ターゲット

約75%
未創薬

拮抗薬/作動薬

低分子/抗体/ペプチド

広範な疾患領域

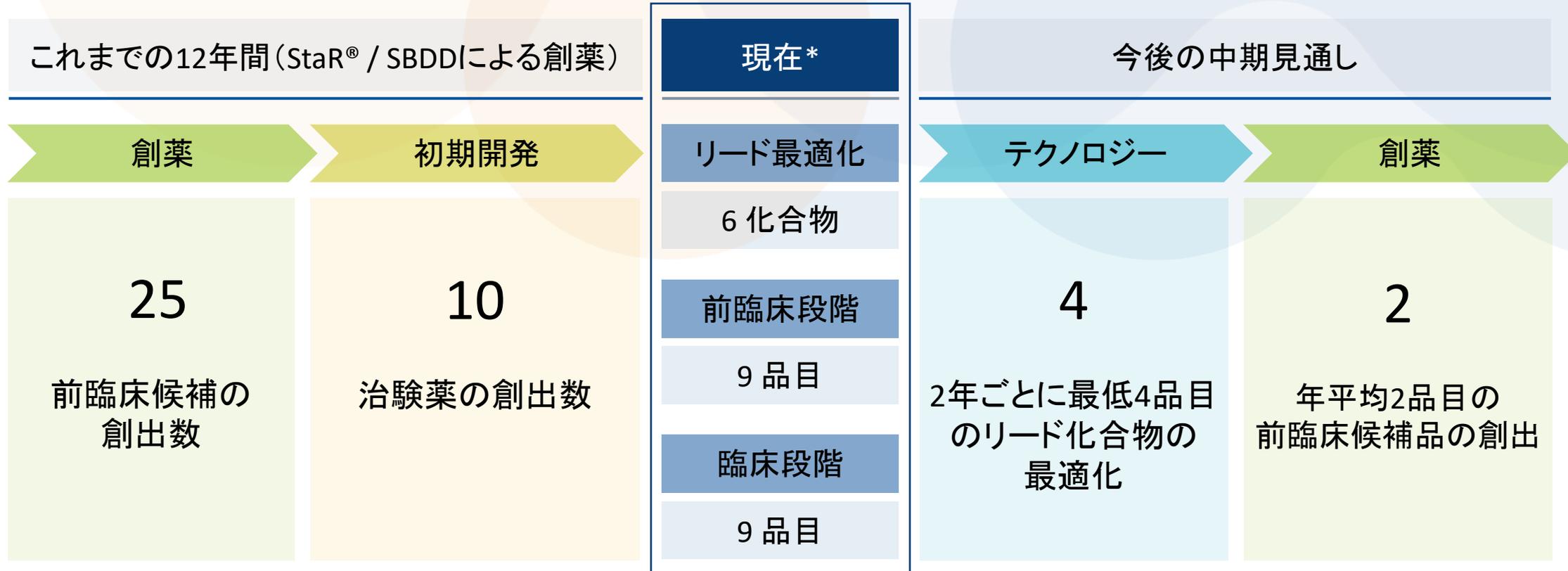
出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016;
"Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews,
2017; Management analyses

● Protein Data Bank で構造が公開されている受容体 ● Sosei Heptares がStaR®を創製した受容体





当社のStaR[®]技術とSBDDプラットフォームにより、 高い生産性で高品質の治療薬候補が生まれている

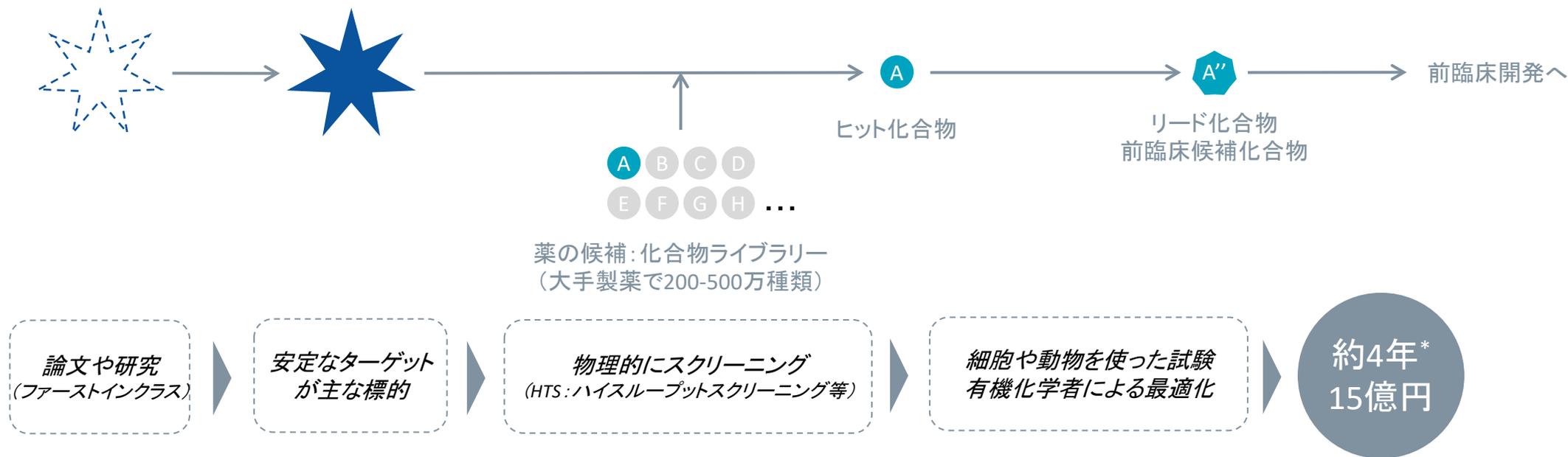
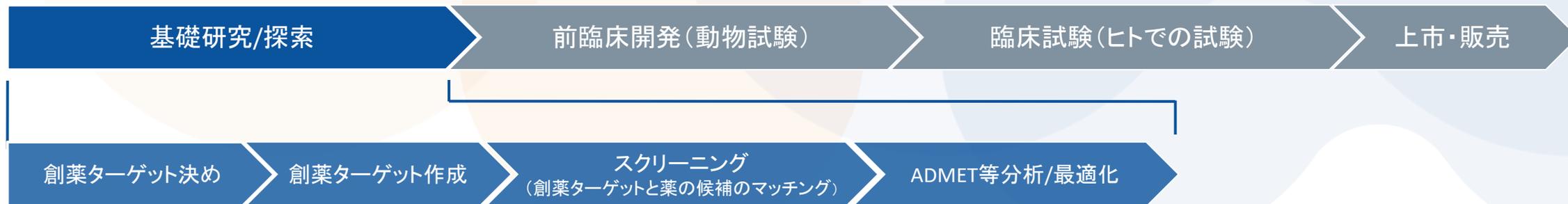


過去12年において、世界で最も生産的な創薬チームのひとつ

*5つのプログラム(1x 第 I 相, 2x 前臨床, 2x 創薬)についてはアカデミアまたは製薬企業等との提携を目指します。詳細はこちらをご覧ください: <https://soseiheptares.com/other-programs-for-partnering>

そもそも薬はどうやって見つけるのか？

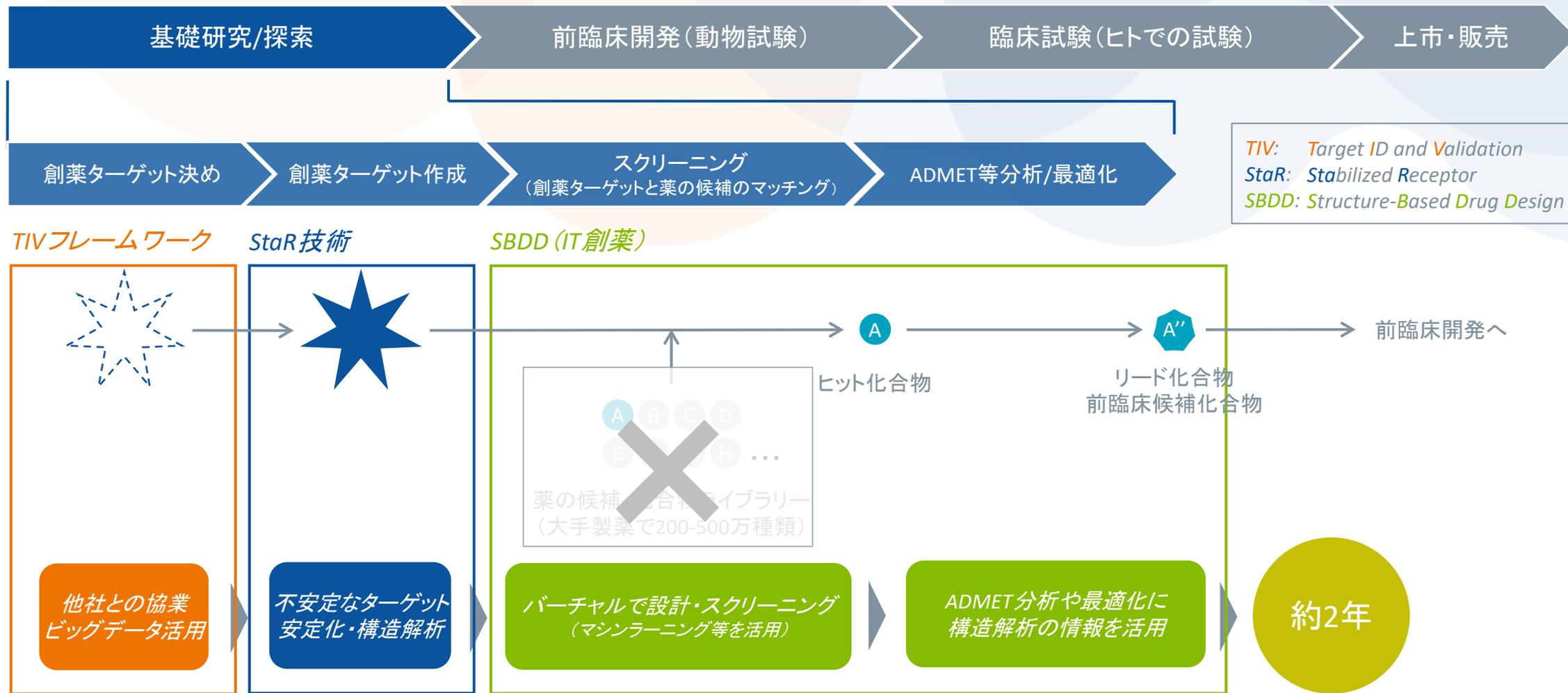
低分子を例にした伝統的な創薬には、4年間に亘り15億円程度が必要



*NATURE REVIEWS Drug Discovery(MARCH 2010)
出所: 当社作成

当社はどうやって薬を見つけているのか？

StaR技術による構造解析をコアに、多くの創薬プロセスをITにより効率化



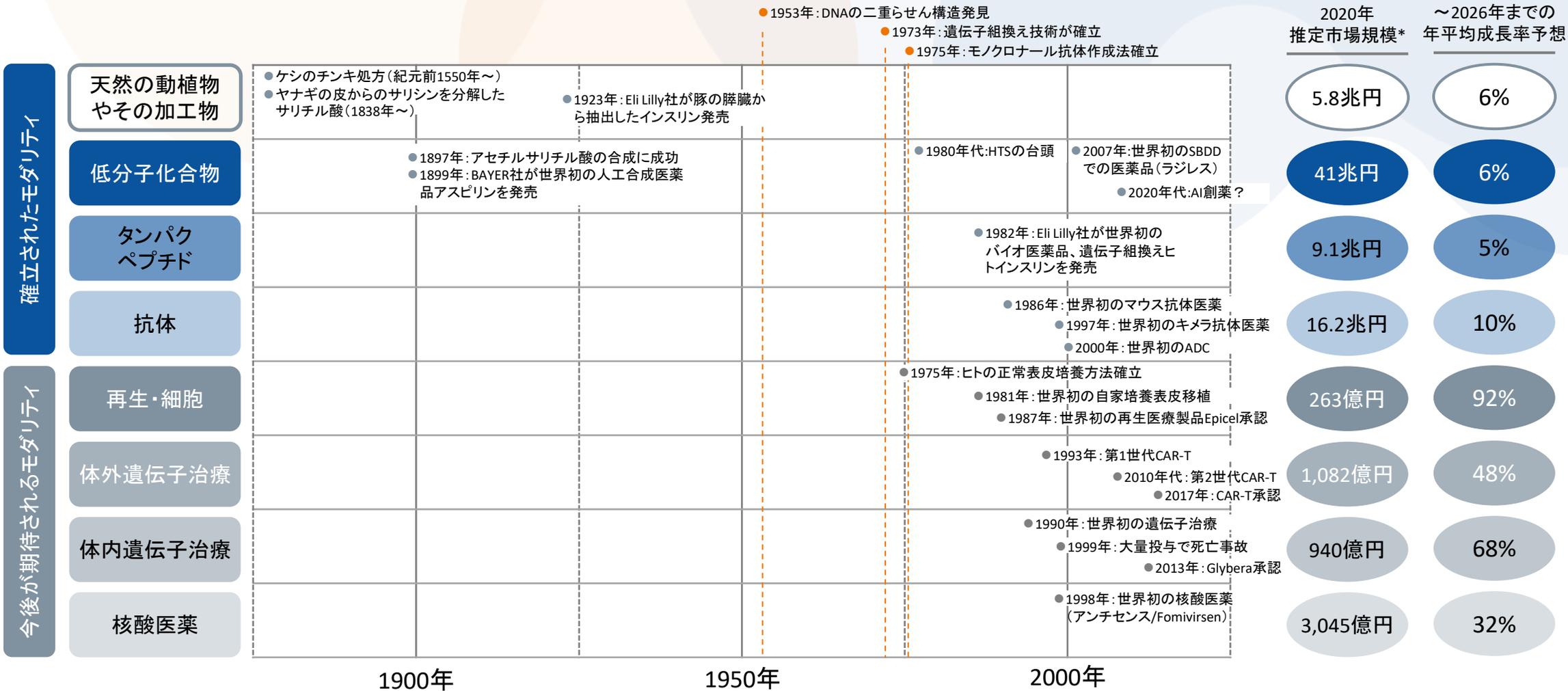


2

製薬産業の全体像

主なモダリティにおける創薬の歴史

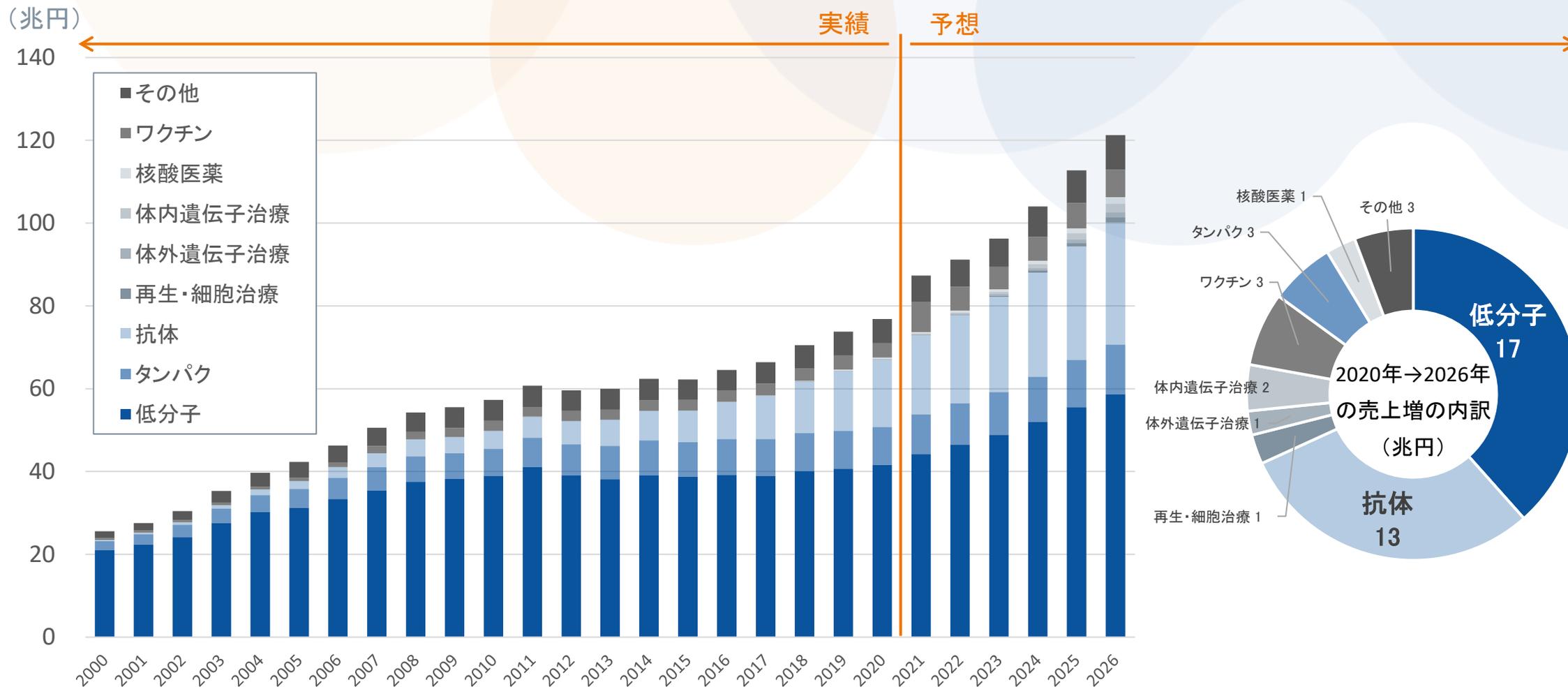
低分子は医薬品産業で最も規模が大きく、確立された創薬モダリティ



*推定市場規模は個別の製品売上高の積算で算出され、製品売上高が公開されていない製品は含まれないため、実際の市場規模よりも小さい可能性がある点に留意
出所: Evaluate Pharma等より当社作成

“モダリティ別”の医薬品売上高の実績と予想

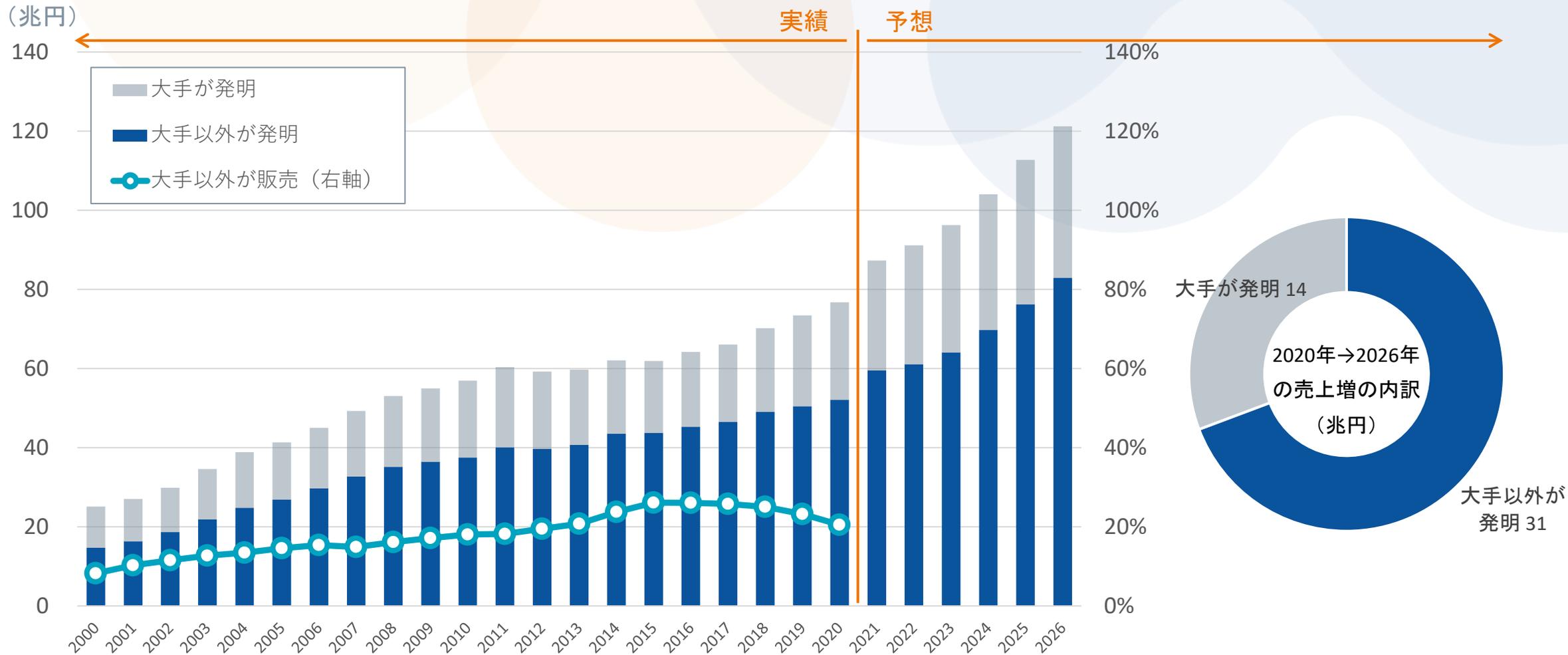
2026年までに低分子は17兆円、抗体は13兆円の市場増が世界で期待されている



出所: Evaluate Pharmaより当社作成

“発明者別”の医薬品の売上高の実績と予想

ベンチャーは医薬品の約7割の“発明者”だが、販売では約2割に留まる

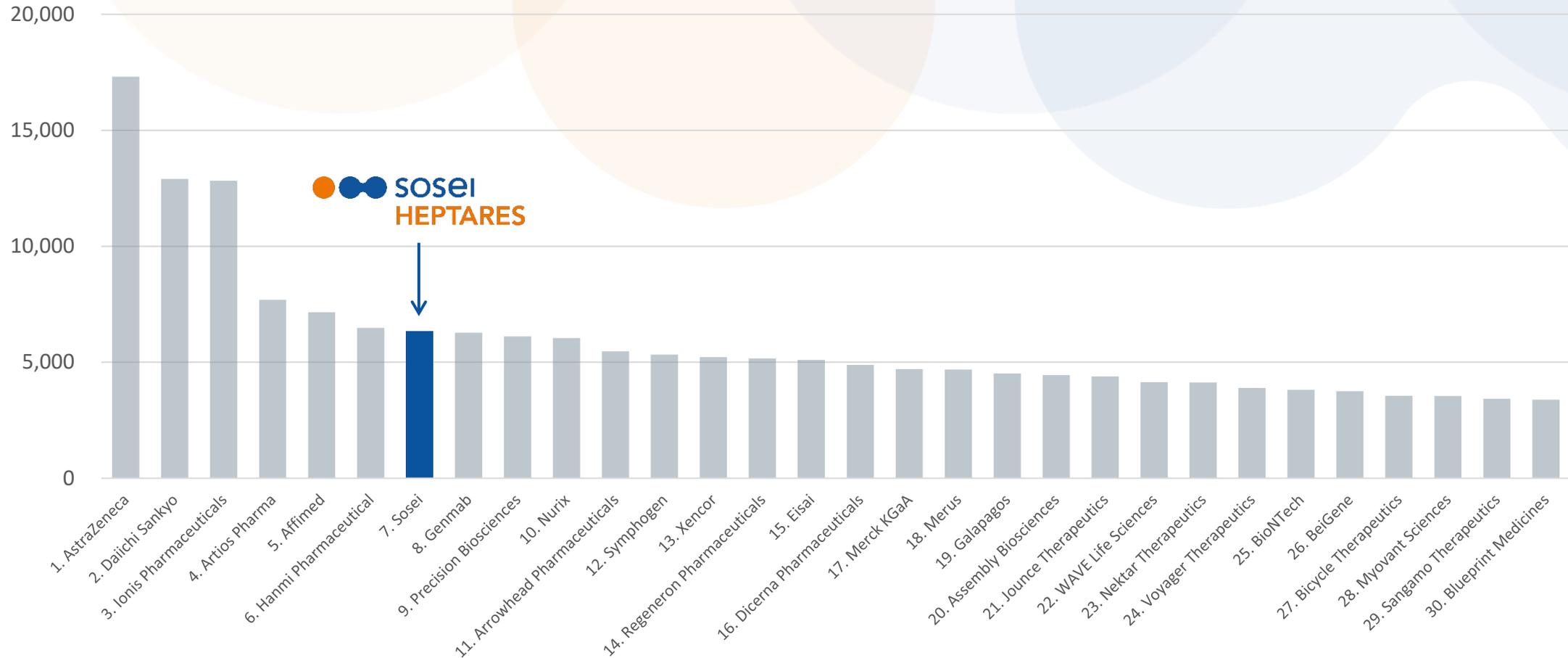


*大手はEvaluate社の企業の定義で“Global Majors (Pharma)”、“Regional Major (Pharma)”、“Generic”を合算
出所: Evaluate Pharmaより当社作成

世界の製薬・バイオ企業のライセンス金額トップ30

2015年以降のライセンス金額ランキングで、当社は世界7位に位置付けられている

(百万ドル)



出所: Evaluate Pharma, 2015年-2020年のデータより当社作成



3

収益構造と 2020年度連結業績

2020年も事業進展は順調

2020年12月期(1月-12月)業績ハイライト

1

既存提携の進捗、新規提携の実施、共同投資により、売上収益は8,842百万円(前期は9,726百万円)

2

提携の推進、戦略の実行、コスト管理に注力したことで、現金利益は2,904百万円(前期は2,846百万円)

3

営業利益は928百万円(前期は384百万円)となり、通期黒字化という目標を達成

4

積極的な戦略的成長プランを後押しするために、200百万ドル超の新規成長資金調達を実施。COVID-19流行下での日本のバイオ医薬品企業で最大規模の調達

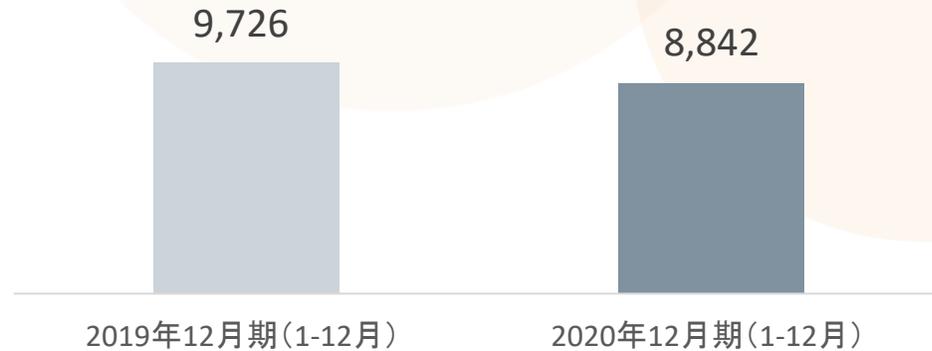
5

現金および現金同等物は246億円増加し、現金および現金同等物の期末残高は400億円と安定した水準を維持

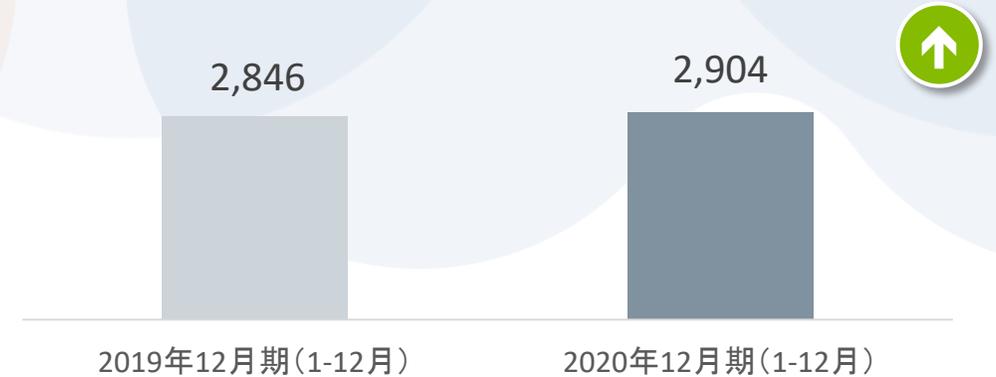
独自のバランスの取れたビジネスモデルにより持続的な財務状態を実現

コスト管理と持続可能な研究開発投資により、 2期連続黒字を達成

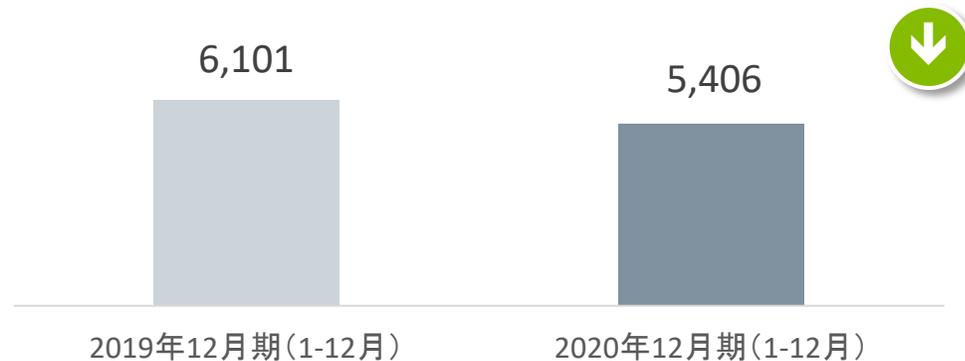
売上収益(百万円)



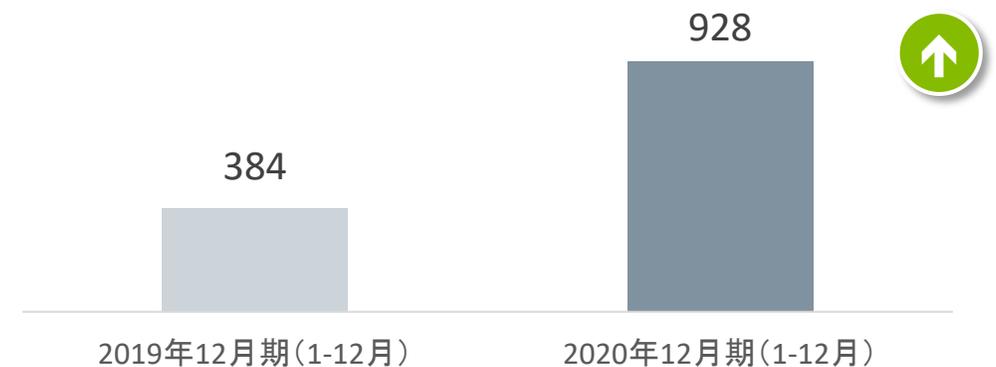
現金利益¹(百万円)



現金支出費用^{1,2}(百万円)



営業利益(百万円)

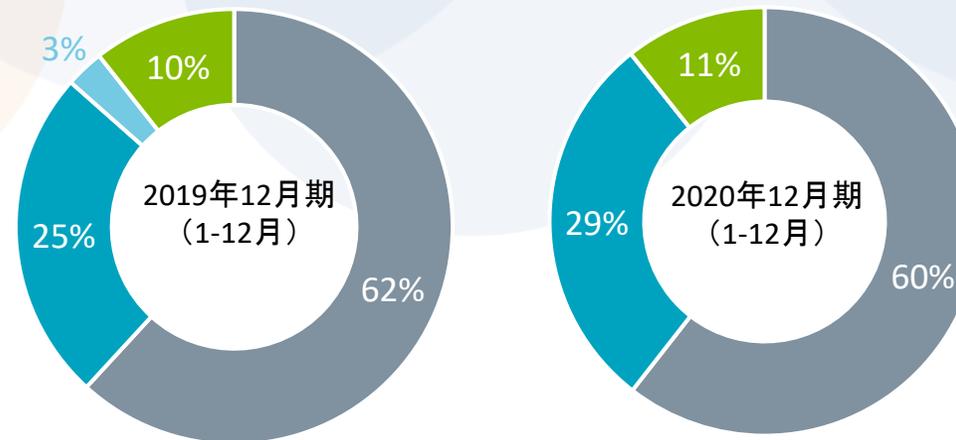


注: ¹ Non-IFRS measure; ² 現金支出費用 = 研究開発に係る現金支出 + 一般管理費に係る現金支出

創薬提携と共同投資に注力し、 バランスの取れた売上内訳を実現

	百万円		百万ドル	
	2019年12月期 (1-12月)	2020年12月期 (1-12月)	2019年12月期 (1-12月)	2020年12月期 (1-12月)
売上収益	9,726	8,842	89.2	82.8
売上原価に 係る現金支出	(807)	(607)	(7.4)	(5.7)
研究開発費に 係る現金支出	(3,937)	(3,411)	(36.1)	(31.9)
一般管理費に 係る現金支出	(2,164)	(1,995)	(19.8)	(18.7)
その他の現金収益	28	75	0.3	0.7
現金利益	2,846	2,904	26.1	27.2
非現金支出費用	(2,462)	(1,976)	(22.6)	(18.5)
営業利益	384	928	3.5	8.7
金融収益(費用)	331	1,050	3.0	9.8
持分法による 投資利益(損失)	(181)	(356)	(1.7)	(3.3)
税引前当期利益	534	1,622	4.9	15.2
当期利益	1,432	1,479	13.1	13.8

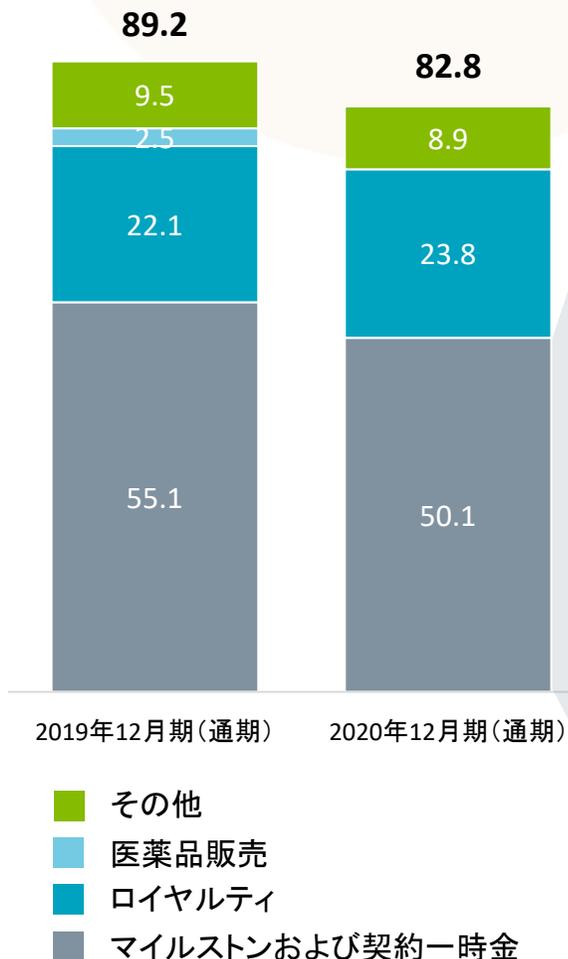
売上収益内訳



	2019年12月期(1-12月)		2020年12月期(1-12月)	
■ マイルストーン	6,013百万円	55.1百万ドル	5,353百万円	50.1百万ドル
■ ロイヤリティ	2,406百万円	22.1百万ドル	2,544百万円	23.8百万ドル
■ 医薬品販売	276百万円	2.5百万ドル	-	-
■ その他	1,031百万円	9.5百万ドル	945百万円	8.9百万ドル

セグメント別売上高の詳細(IFRS)

百万ドル



通期売上収益に計上されたマイルストーンおよび契約一時金の内訳¹

時期	2019年の関連イベント	売上収益 (百万ドル)
19年1月	AZD4635のPhase2試験開始	15.0
19年2月	FFTCからオラビのマイルストーン受領	1.8
19年2月	Inexia社からの契約一時金	0.3
19年2月	Orexia社/Inexia社の株式受領	2.3
19年2月	第一三共の構造解析完了	0.5
19年5月	ファイザー社の臨床開発候補物質獲得(1)	3.0
19年5月	ノバルティス社のEnerzair®がEUで承認申請	2.5
19年5月	ファイザー社の臨床開発候補物質獲得(2)	3.0
19年7月	ジェネンテック社との提携一時金	7.6
19年8月	武田薬品との提携一時金	10.0
19年9月	ジェネンテック社のターゲット選定	0.8
19年12月	ファイザー社のPhase1試験開始(1)	5.0
19年12月	ファイザー社の臨床開発候補物質獲得(3)	3.0
	その他パートナー企業からの収入	0.8

時期	2020年の関連イベント	売上収益 (百万ドル)
20年2月	第一三共のリード化合物獲得	1.5
20年6月	アッヴィ社との提携一時金	2.5
20年6月	ノバルティス社のEnerzair®が日本で承認	1.3
20年7月	ノバルティス社のEnerzair®がEUで承認	5.0
20年8月	武田薬品の構造解析完了	0.3
20年9月	ファイザー社のPhase1試験開始(2)	5.0
20年11月	Tempero Bio社からの契約一時金	5.0
20年11月	Tempero Bio社の株式受領	2.0
20年11月	バイオヘイブン社からの契約一時金	5.0
20年11月	バイオヘイブン社の株式受領	4.7
20年12月	AbbVie社の構造解析完了	0.7
20年12月	武田薬品工業の構造解析完了	0.3
20年12月	GSK社の契約一時金	12.5
	その他パートナー企業からの収入	4.3

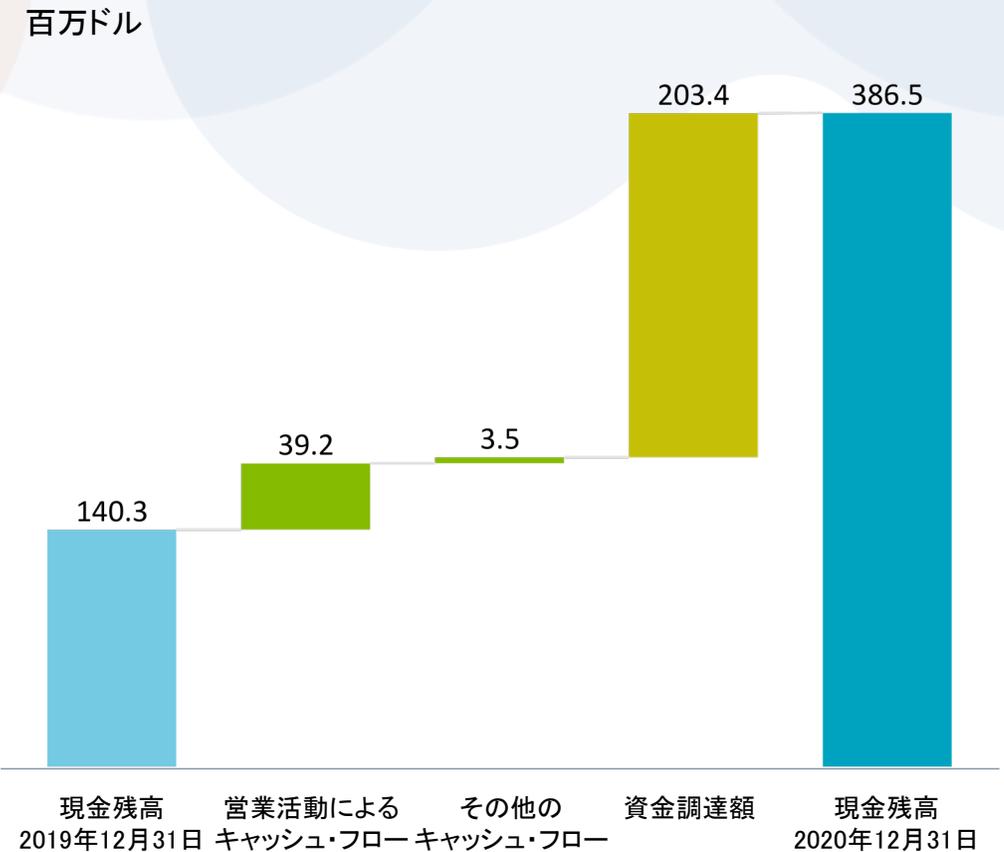
¹ 売上収益は該当する決算期の会計上の売上収益で、実際に受領した現金とは異なる場合があります。

プラスの営業キャッシュ・フローと資金調達の成功で、 企業価値向上のための投資が可能に

	百万円		百万ドル	
	2019年 12月31日	2020年 12月31日	2019年 12月31日	2020年 12月31日
のれんおよび無形資産	27,364	25,936	249.8	250.5
有形固定資産	4,120	3,824	37.6	36.9
現金および現金同等物	15,375	40,008	140.3	386.5
持分法で会計処理されている投資	3,539	3,087	32.3	29.8
その他の金融資産	2,053	1,593	18.7	15.4
その他の資産	4,229	2,017	38.6	19.5
資産合計	56,680	76,465	517.4	738.6
社債	—	14,789	—	142.9
その他の負債	11,602	9,295	105.9	89.7
負債合計	11,602	24,084	105.9	232.6
資本合計	45,078	52,381	411.5	506.0

注：為替レート：1ドル＝106.77円（2020年度）、1ドル＝109.03（2019年度）

キャッシュ・ウォーターフォールチャート（2020年12月期（1-12月））



持続可能かつ費用対効果を重視した投資により、コストを適正にコントロール

2020年度
第3四半期時点の
業績見込み

研究開発費に係る現金支出

4,200百万円～4,700百万円

一般管理費に係る現金支出

1,800百万円～2,300百万円

実績
(2020年12月期)

3,411百万円

1,995百万円

- ✓ 外部委託企業との開発費用の負担を見直し
- ✓ 新規提携の増加により、多くの開発費用を提携先が負担
- ✓ コロナウイルスの影響による遅延下で管理されたプログラム費用の減少

- ✓ 慎重なコストマネジメント
- ✓ 主に株価の変動に伴い英国での社会保険料が減少したことに伴い減少

新規プログラムの加速、大手企業との新規提携、 企業価値向上のため投資は小幅増加

2021年12月期
業績見込み
(2021年度
第3四半期時点)

研究開発費に係る現金支出

5,000百万円～5,750百万円*

- ✓ ムスカリン作動薬プログラムに係る開発の加速
- ✓ ファーストインクラスの医薬品となる可能性のある新規ターゲットの創薬とプログラム推進の加速

一般管理費に係る現金支出

1,800百万円～2,300百万円

- ✓ コンプライアンスおよびガバナンス体制の継続的構築
- ✓ オラクルNetSuite ERPシステムの導入

将来の成長加速を見据えて足元での投資を実施

* 期初の4,000百万円から5,000百万円の見込みから増加

第2四半期終了後に新規海外募集と既発社債の買入消却を実施

2026年満期ユーロ円建転換社債発行により約298億円の手取金



中堅企業の転換社債発行では、アジア太平洋地域で2015年以降最大規模



投資家からの既発社債の買入率は98%と高く、効果的な負債管理を実施



資金調達コストの低減、負債の長期化および潜在希薄化抑制の可能性

資金使途:

- 約189億円を既発転換社債の買入資金として充当 – 実施済
- 新たな手取金100億円を既存の資金209億円に上乗せし、戦略的成長への取り組み(企業買収および/もしくは投資)に充当
- 約9億円を新規パイプラインの研究開発および運転資金に充当

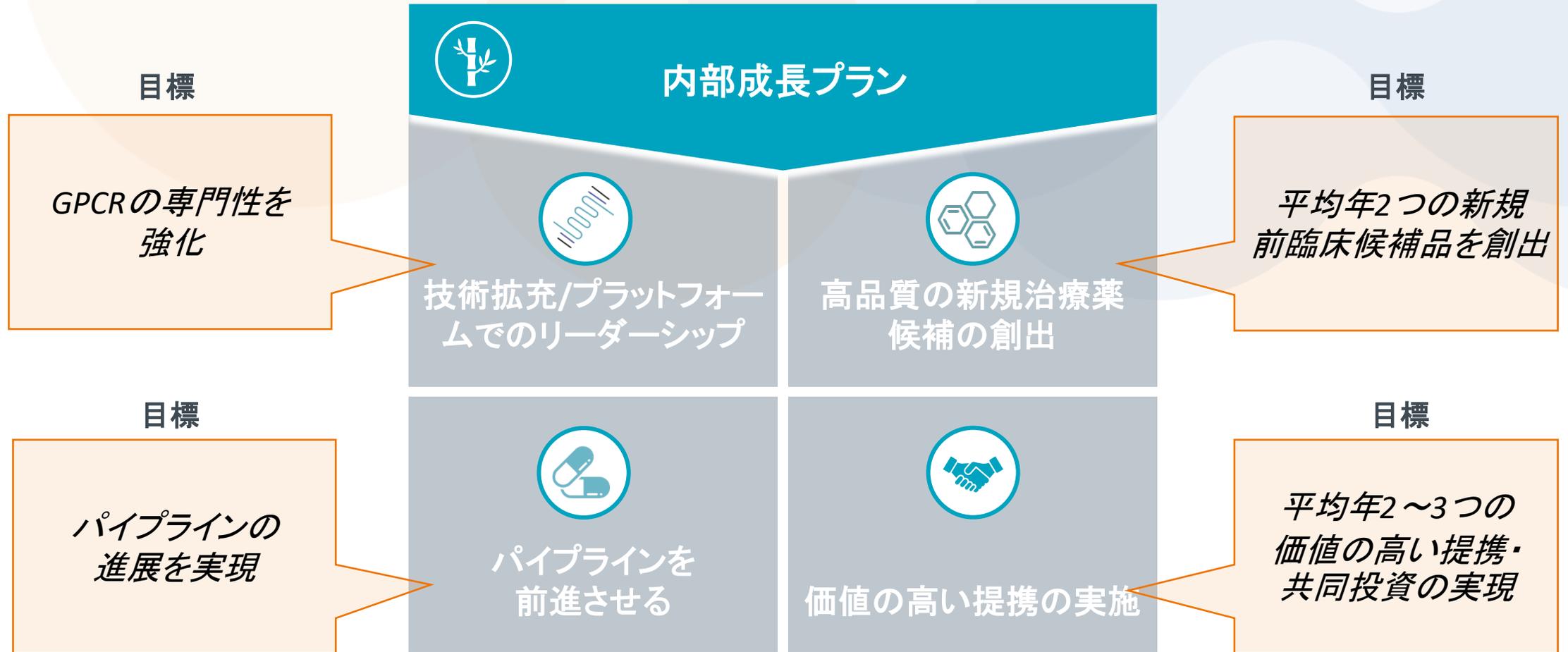
戦略的成長への取り組みを継続し、チャンスが巡ってきた際の実行資金を確保



4

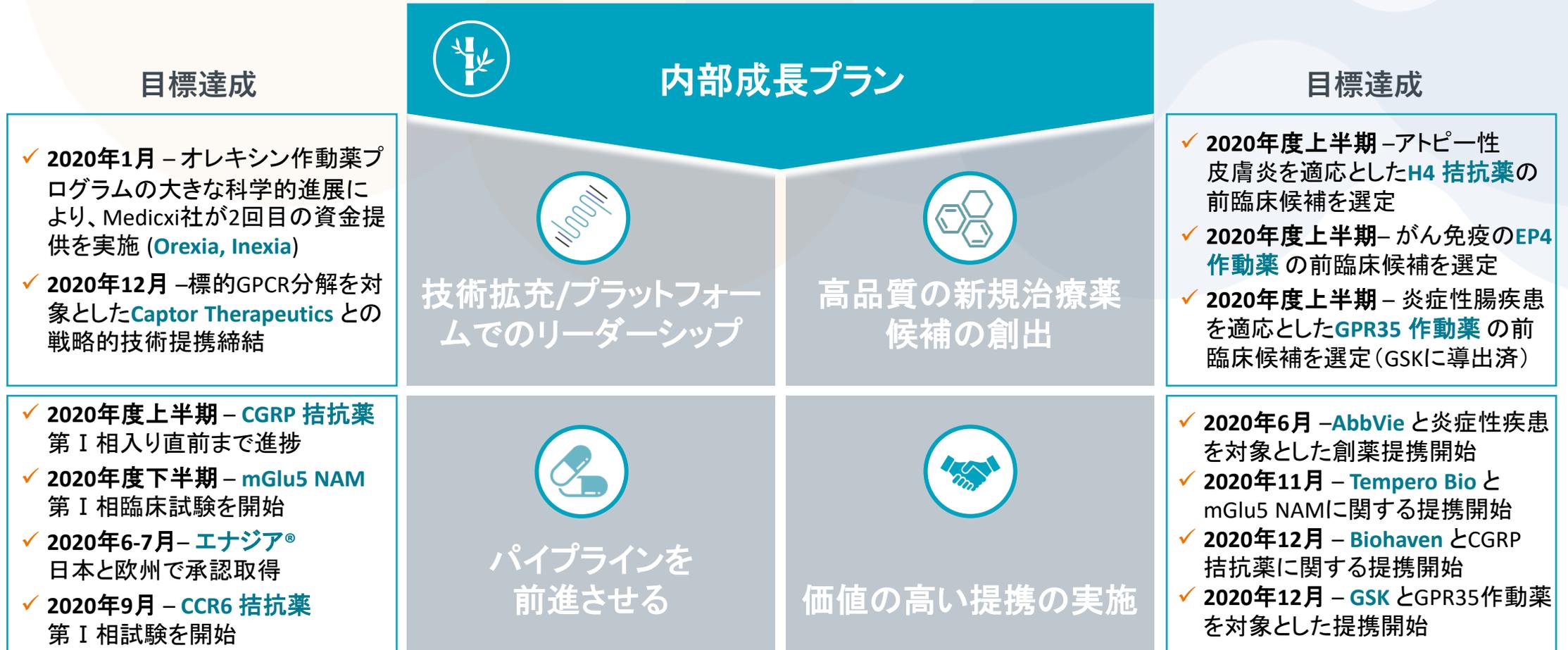
内部成長戦略

世界をリードするGPCR創薬が牽引する当社の内部成長プラン



価値の高い提携・共同投資を継続的に実施するための幅広いパイプラインの構築

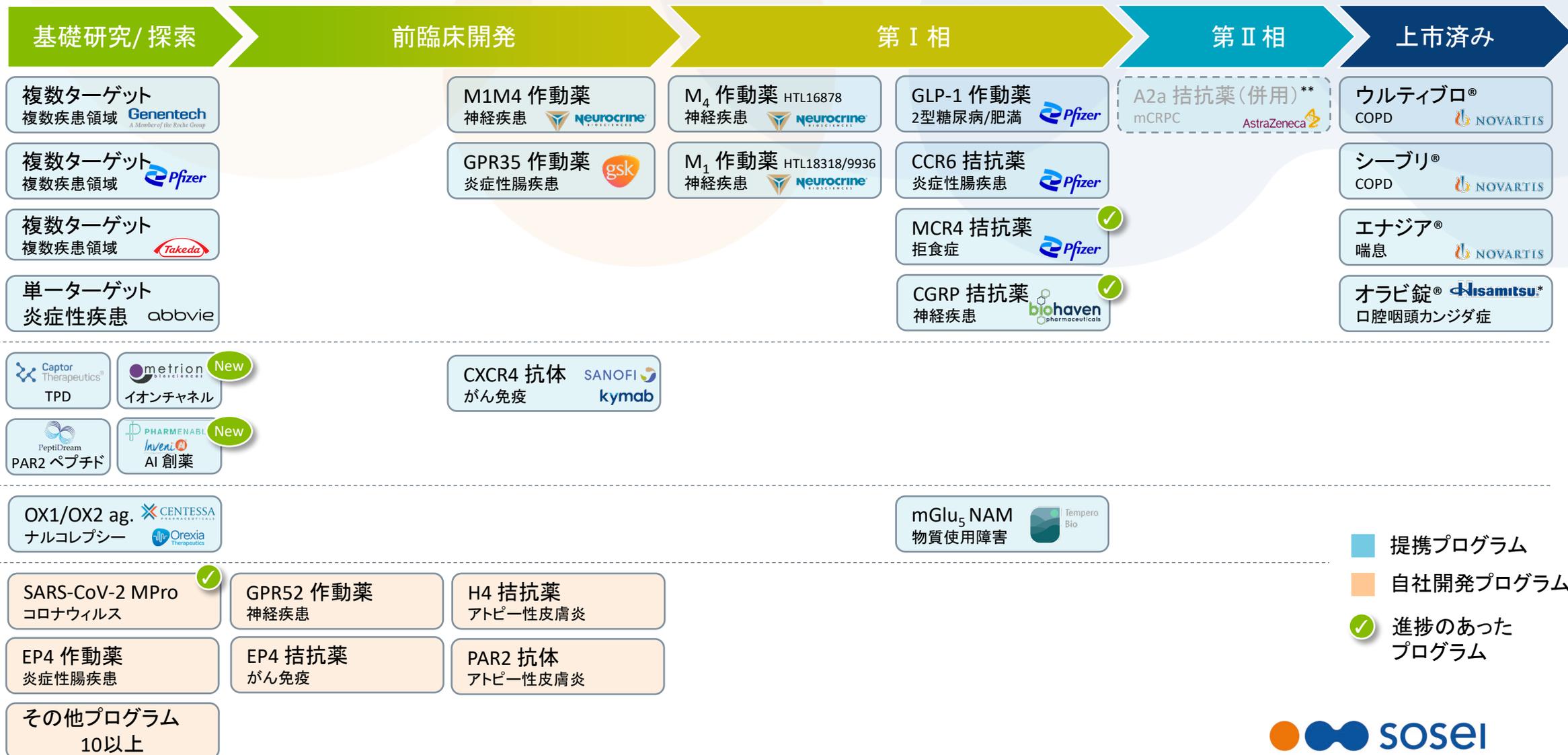
世界をリードするGPCR創薬が牽引する当社の内部成長プラン



2020年度は内部成長プランの目標をすべて達成

パイプライン一覧表

自社開発についても、価値が高まった時点で順次ライセンスを検討



- 提携プログラム
- 自社開発プログラム
- 進捗のあったプログラム

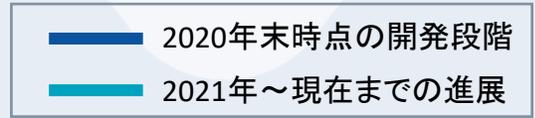
提携済パイプライン進捗の詳細①

■ 2020年末時点の開発段階
■ 2021年～現在までの進展

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	第I相	第II相	第III相	申請	販売
伝統的な導出プロジェクト											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティプロ®	LAMA+LABA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
エナジア®	LAMA+LABA+ICS	低分子	喘息	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
オラビ®	抗真菌薬ミコナゾール	低分子	口腔咽頭カンジダ症	Hisamitsu.*	■	■	■	■	■	■	■
Imaradenant**	アデノシンA2a拮抗薬(併用)	低分子	転移性去勢抵抗性前立腺がん	AstraZeneca	■	■	■	■	■	■	■
HTL0016878	ムスカリンM4作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
HLT0018318***	ムスカリンM1作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
HLT009936	ムスカリンM1作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1作動薬Backup	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM4作動薬Backup	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1/M4作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
PF-07081532	GLP-1作動薬	低分子	2型糖尿病/肥満	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
PF-07054894	CCR6拮抗薬	低分子	炎症性腸疾患	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
PF-07258669	MC4拮抗薬	低分子	拒食症	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
BHV3100	CGRP拮抗薬	低分子	神経疾患	biohaven	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患	gsk	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	複数の適応症	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数の適応症	Genentech	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	消化器疾患・その他	Takeda	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	単一ターゲット	低分子	炎症性疾患	abbvie	■	■	■	■	■	■	■

注: シーブリ®、ウルティプロ®、エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。* 2021年11月1日より富士フィルムから久光製薬へ販売移管。** A2a拮抗薬は2021年11月にアストラゼネカ社のパイプラインから削除され、現在今後の方針を協議中。*** 自主的に中断中

提携済パイプライン進捗の詳細②



製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	第I相	第II相	第III相	申請	販売
共同開発プロジェクト/収益分配型											
KY1051	抗CXCR4抗体	モノクローナル抗体	がん免疫	SANOFI kymab	■						
(非開示)	PAR-2	ペプチド	炎症性疾患	DeptiDream	■	■					
(非開示)	標的タンパク質分解誘導薬	低分子	消化器疾患	Captor Therapeutics	■						
(非開示)	AI創薬	低分子	神経疾患	PHARMENABLE	■						
(非開示)	イオンチャネル創薬	低分子	神経疾患	metrion	■						
(非開示)	AIによる複数標的の探索	低分子	免疫疾患	Inveni AI	■						
アセット特化型企业(共同投資)											
TMP301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害	Temporo Bio	■	■					
(非開示)	OX1/OX2作動薬(経口・経鼻)	低分子	ナルコレプシー	CENTESSA Orexia Therapeutics	■						

2015年以降に価値の高い新規提携を多く実施

提携先	提携時期	プログラム	疾患領域	契約一時金 初期マイルストーン	マイルストーン総額 (最大) ¹
	2021年11月	M4、M1、M1/M4作動薬の ライセンス契約と研究開発提携	神経疾患	100百万ドル	26億ドル
	2020年12月	GPR35作動薬のライセンス契約 と研究開発提携	消化器疾患/免疫疾患	44百万ドル	4.8億ドル
	2020年12月	CGRP拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携	神経疾患	10百万ドル	3.8億ドル
	2020年6月	ライセンスオプションを 含む創薬提携 ²	炎症性疾患/自己免疫	32百万ドル	4億ドル
	2019年8月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数 当面は消化器疾患に注力	26百万ドル	12億ドル
 <small>A Member of the Roche Group</small>	2019年7月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	26百万ドル	10億ドル
	2015年11月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	--	18億ドル
	2015年8月	A _{2a} 拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携	がん免疫	10百万ドル	5億ドル
合計				248百万ドル	84億ドル超

¹ 将来受け取る権利を有するオプション行使料、開発/承認/商業化マイルストンの総額。これとは別に製品が販売された場合には、ロイヤリティとして売上高の一定割合(通常1桁中盤~2桁の段階的ロイヤリティ)を受領する権利を有する。ここでは、当社グループが締結している契約のうち、収益構造に重要な影響を与える契約ごとの取引総額を記載しており、23ページでは主に最大マイルストーンに含まれる金額のうち、各年の売上収益に寄与したものを項目ごとに整理

² アッヴィは最大3つのターゲットを追加的に選定できるオプションを有する

自社開発パイプライン進捗の詳細

— 2020年末時点の開発段階
— 2021年～現在までの進展

開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	オリジネーター	基礎	前臨床	第I相	第II相	第III相	申請	販売
自社開発品(提携前)											
(非開示)	H4拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
(非開示)	EP4拮抗薬	低分子	がん免疫	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
(非開示)	GPR52作動薬	低分子	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
(非開示)	PAR-2抗体	モノクローナル抗体	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
SH-879	SARS CoV-2 Mpro阻害薬	低分子	コロナウイルス感染症	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
(非開示)	EP4作動薬	低分子	炎症性腸疾患	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	消化器・炎症性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	免疫疾患	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
自社開発品(これ以上の自社での資金投入は行わず、アカデミアまたは製薬企業等との提携を目指す)											
HTL30310	SSTR5作動薬	ペプチド	低血糖症	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
HTL'097	GLP-1拮抗薬	ペプチド	低血糖症	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
HTL'023	GLP-2/GLP-1作動薬	ペプチド	腸管障害/NASH	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
(非開示)	Apelin作動薬	ペプチド	肺動脈性肺高血圧症	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—
HTL'641	OX1/OX2デュアル拮抗薬	低分子	不眠症/睡眠障害	●●● SOSEI HEPTARES	—	—	—	—	—	—	—

アンメットニーズの高い領域の新規治療法を開発中

	適応症	世界の患者数	プログラム
免疫疾患	がん	約4,200万人	A2a拮抗薬、EP4拮抗薬、CXCR4抗体
	炎症性腸疾患	約1,000万人	CCR6拮抗薬、GPR35作動薬、EP4作動薬
	アトピー性皮膚炎	約1,330万人	H4拮抗薬、PAR2抗体
神経疾患	認知症	約5,500万人	M1作動薬、M1/M4作動薬
	統合失調症	約2,000万人	M4作動薬、M1/M4作動薬
	物質使用障害	約1,040万人 ¹	mGlu5 NAM
	ナルコレプシー	約300万人	OX2作動薬
	その他神経疾患	—	CGRP拮抗薬、GPR52作動薬
その他	拒食症	約290万人	MC4拮抗薬
	SARS-CoV-2	約2.4億人	Mpro阻害薬

出典：World Health Organization、The European Federation of Crohn's & Ulcerative Colitis Associations (EFCCA)、Narcolepsy Network, Inc.、GBD 2015 Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators (October 2016). "Global, regional, and national incidence, prevalence, and years lived with disability for 310 diseases and injuries, 1990-2015: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2015". Lancet. 388 (10053): 1545-1602, EvaluatePharma

注：当社グループは特定の市場の一つのセグメントを対象とする可能性があります ¹ 薬物依存症

ムスカリンプログラムは革新的な薬剤となる可能性

ムスカリンM₄およびM₁受容体は精神障害・認知障害の治療への有効性が確立した標的

ムスカリンM₄およびM₁受容体はそれぞれ精神障害・認知障害の治療に有効な標的

25年以上にわたる大手製薬会社の取り組みにもかかわらず、選択的オルソステリック作動薬*の創薬は非常に困難

~2000万

統合失調症



全世界の患者数

~5500万

認知症

\$8180億

社会的コスト



認知症のコスト

1.1%

全世界のGDP比

M₄/M₁選択的作動薬のキサノメリンは、統合失調症・認知症患者を対象にしたプラセボ対照二重盲検比較試験でPOC (Proof of Concept)を確立

Selective muscarinic receptor agonist xanomeline as a novel treatment approach for schizophrenia

Anantha Shekhar¹, William Z Potter, Jeffrey Lightfoot, John Lienemann, Sanjay Dubé, Craig Mallinckrodt, Frank P Bymaster, David L McKinzie, Christian C Felder

Effects of xanomeline, a selective muscarinic receptor agonist, on cognitive function and behavioral symptoms in Alzheimer disease

N C Bodick¹, W W Offen, A I Levey, N R Cutler, S G Gauthier, A Satlin, H E Shannon, G D Tollefson, K Rasmussen, F P Bymaster, D J Hurley, W Z Potter, S M Paul

末梢性ムスカリンM₂およびM₃受容体に作用しない
ムスカリンM₄および/またはM₁受容体作動薬は革新的薬剤となる可能性

*オルソステリック作動薬: 受容体のリガンド結合部位と同じ部位に結合するメカニズムを持つ作動薬
出典: 世界保健機関

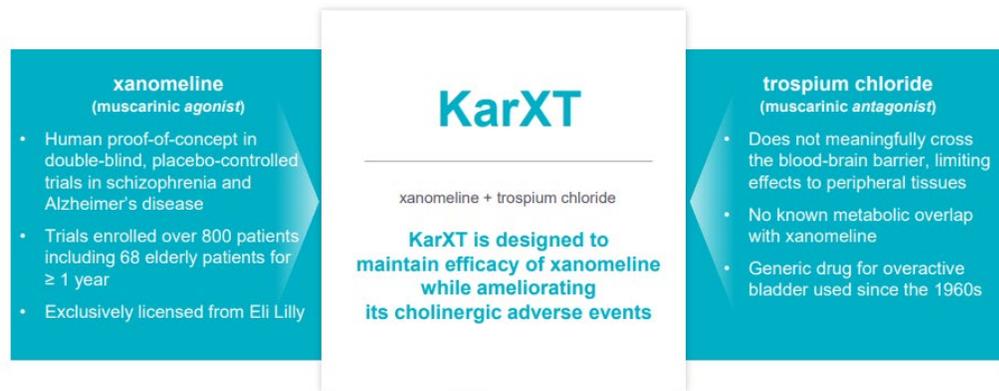
M₄作動薬の競合の開発状況

Karuna社とCerevel社が、M4作動薬のメカニズムの有望性を裏付けつつある



KarXT (M₁/M₄作動薬、M₂/M₃拮抗薬)

KarXT: Proprietary lead product candidate



Sources: Bodick et al. 1997, Shekhar et al. 2008



RATIONALE FOR KarXT | 10

CVL-231 (M₄ PAM)

Cerevel's Selective M₄ Modulation: A Compelling and Differentiated Approach to Drive Antipsychosis

M₄ Selectively Impacts Brain Functions

Other Muscarinic Receptors	Potential Effect	M ₄ Muscarinic Receptor
-	Antipsychosis	✓✓
✓✓	Cognition	✓
✓✓	GI Side Effects	-
✓	Cardiovascular	✓

Receptor Subtype Selectivity Offers Potential Improvement

Xanomeline (M₁/M₄) data from Schizophrenia and Alzheimer's patients show targeting muscarinic receptor impacts brain function
But development limited by GI and CV side effects

Karuna's KarXT creatively addresses this by adding trospium to Xanomeline to offset side effects
Non-selective approach

M₄ Knock-out mouse data suggests M₄ receptors drive the antipsychotic activity of Xanomeline

M₁ receptors believed to contribute to worrisome side effects

CVL-231:
Highly Selective Once-daily (QD) M₄ PAM

>800X
more selective for
M₄ over M₁, 3 and 5

>390X
more selective
than for M₂



Source: 1. Shekhar et al. Am J Psychiatry, Vol 165, Aug 2008, N=20. 2 active and 3 placebo-arm patients discontinued the study, none due to adverse events.
2. Bodick et al. Arch Neurol, Vol 54, Apr 1997, N = 343. 52% of patients in high-dose arm discontinued treatment due to adverse events.

© Cerevel Therapeutics Holdings, Inc.

13

Karuna社のKarXT¹とCerevel社のCVL-231²により、投資家と医薬品業界は
精神障害・認知障害治療におけるムスカリン作動薬プログラムの可能性を再認識

1. KarXTはキサノメリン(ムスカリンM₁/M₄ 選択的作動薬)と塩化トロスピウム(ムスカリンM₂/M₃拮抗薬)の組み合わせ 出典: Karuna Therapeutics会社説明資料(2020年12月) [LINK](#)

2. CVL-231は選択的ムスカリンM₄ ポジティブアロステリックモジュレーター(PAM) 出典: Cerevel Therapeutics会社説明資料(2020年11月) [LINK](#)

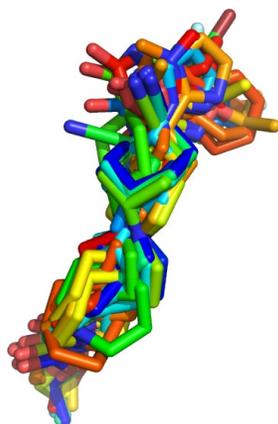
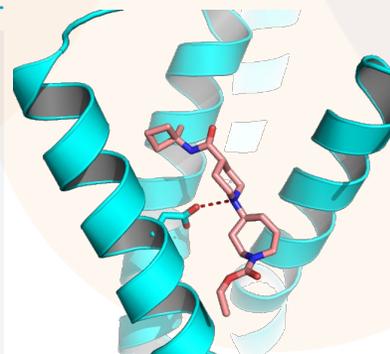


M₄作動薬の競合優位性

StaR® / SBDDにより精密にデザインされ、競合の開発品に対して差別化

当社グループは独自のStaR®技術を駆使しムスカリン受容体を作動薬構造で安定する結晶構造解析法を開発

化合物群の構造から得られた詳細により受容体サブタイプにわたって相互作用と親和性の調整が可能



HTL16878

統合失調症および認知症の精神症状の
治療のための選択的M₄作動薬

- M₄受容体の強力なオルソステリックアゴニスト
- 他のムスカリン受容体サブタイプに対して、優れた選択性を持つ
- 他のGPCRや創薬標的に対して、優れた選択性を持つ
- ターゲットへのアクセスを確保できる、優れた中枢移行性と薬物様特性(ターゲットエンゲージメント)

StaR® / SBDDにより精密にデザインされたM₄作動薬プログラムはムスカリンM₄受容体サブタイプに対して非常に選択性が高く、競合の開発品に対して差別化

M₁作動薬の想定対象市場

ピーク売上高4,000億円のドネペジル(標準療法)に上乗せ、ベストインクラスを目指す

	患者数予想 (2030年)	アルツハイマー型認知症			レビー小体型認知症 (DLB)
		軽度	中等度	高度	
		1,850万人	1,150万人	520万人	650万人
症候 改善薬	M1作動薬 (ドネペジルと併用)	← HTL18318のPhase1試験の対象 →			HTL18318について日本で Phase2を計画後中断中
	例:ドネペジル ピーク売上:4,000億円 (2010年)	← →			→ 適応拡大(日本のみ)
疾患 修飾薬	例:アデュカヌマブ	← →			

出典:市場規模、患者数はEvaluatePharmaより作成



5

外部成長戦略

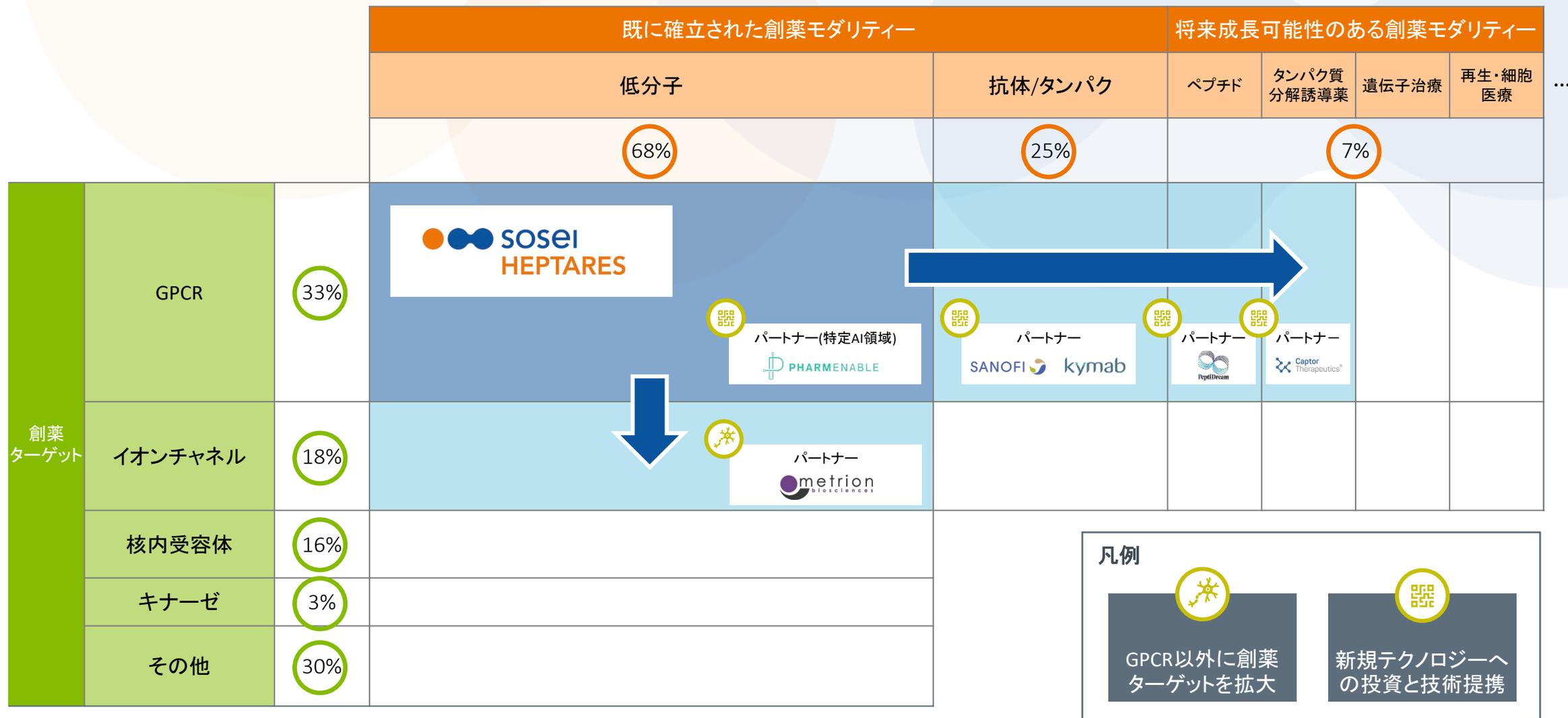
企業価値拡大を目指す戦略的成長プラン



将来の成長を見据えた新たな収益源・テクノロジーの獲得を目指す

- ✓ 2020度実施の提携
- ✓ 2021年度実施の提携(補足資料参照)

戦略的技術提携の拡大を通じ、創薬領域の最大50%をカバー



○ : 主なタンパク質ファミリーをターゲットとする、承認済み低分子薬が対象とするターゲットの割合 (Nature Reviews Drug Discovery volume 16, pages19–34(2017))

○ : 過去5年間(2015-2019)にFDAに承認された新薬のモダリティ別の割合



標的タンパク質分解における創薬でCaptorと戦略技術提携し、注目領域への新たな一歩を踏み出す

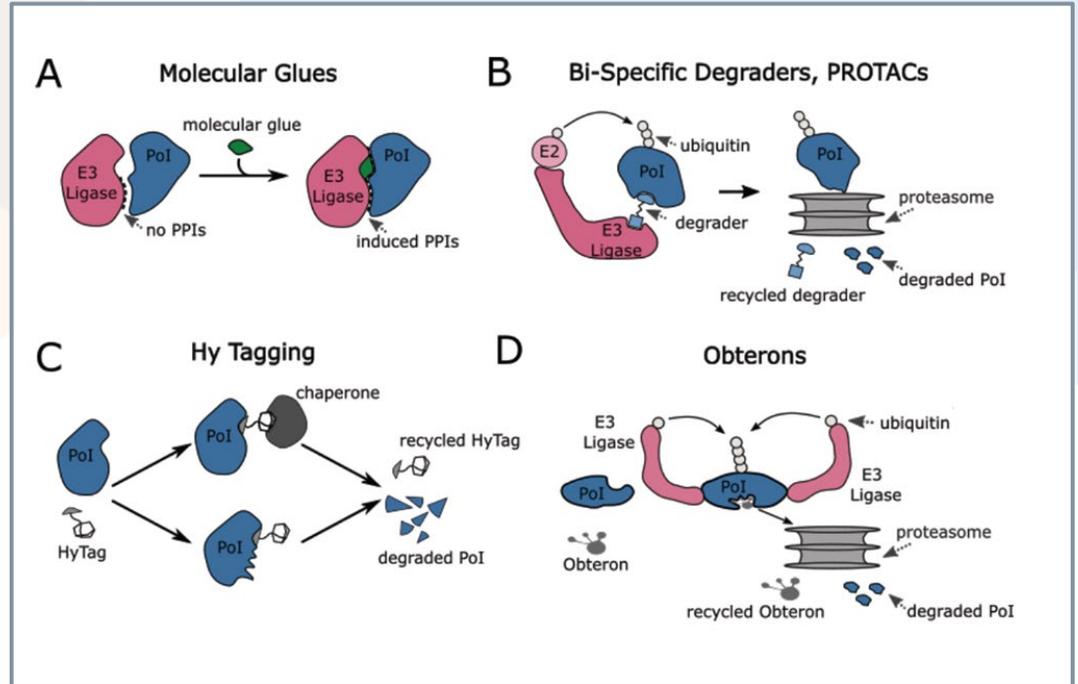
標的 GPCR 分解を対象とした Captor 社との戦略的技術提携

相互の技術を組み合わせた新規のGPCR分解薬プラットフォームを構築し、創薬困難なターゲットに対しての可能性を探る

標的タンパク質分解誘導薬 ータンパク質を分解する人体に本来備わっている自然なプロセスを利用し、病気の原因となるタンパク質を取り除くアプローチ

幅広い疾患に対する新しい治療法として、阻害剤や抗体などの従来の薬剤に比べてさまざまな利点があると期待される

当面、明確に検証がなされた消化器疾患に関係するシグナル伝達経路において、重要な役割を果たすGPCRを標的とした低分子の同定に注力



- ✓ Captorのプラットフォームには、分子接着剤、二重特異性分解剤、オブテロンが含まれる
- ✓ それぞれのアプローチには異なる特徴があり、どの標的や疾患に適しているかも異なる



2020年12月



技術提携により強化された創薬力



新しい技術とのコラボレーション

PharmEnableとのコラボレーションにより医薬品化学とAI技術を融合。将来の開発に向けて特異性の高い新規リード化合物の特定を目指す。

PharmEnable 社のアプローチにより、従来のスクリーニング方法と比べてより特異性が高い三次元(3D)構造の医薬品候補化合物を見出すことができ、創薬困難なターゲットへの取り組みが可能に。

特に創薬が困難であることが明らかになっているペプチド作動性 GPCR ターゲットに適用。

創薬および開発プログラムの実施と費用負担を共同で行い、その結果得られる全ての製品を共同所有する。



2021年1月



GPCRの枠を超えて創薬ターゲットを拡大

Metrion Biosciencesとのコラボレーションにより、GPCRにおける成功と同様に、疾患に関連するイオンチャネルにおいても当社のSBDD技術の可能性を探る。

イオンチャネルとは細胞膜を通過するイオンの流れを制御する膜タンパク質のひとつで、GPCR以外にも疾患に関連することが知られたターゲットであるが十分に活用されていない。

当面は神経疾患において明確に検証がなされたイオンチャネルに対し、特異性の高い新規リード化合物の特定を目指す。

当社グループは、選定されたイオンチャネルに対して特定されたすべての分子に対して、独占的なグローバルでの権利を有する。



2021年2月



新規TIVフレームワーク – 中期的にファーストインクラスとなりうる創薬ターゲット探索への投資と協業・提携を目指す



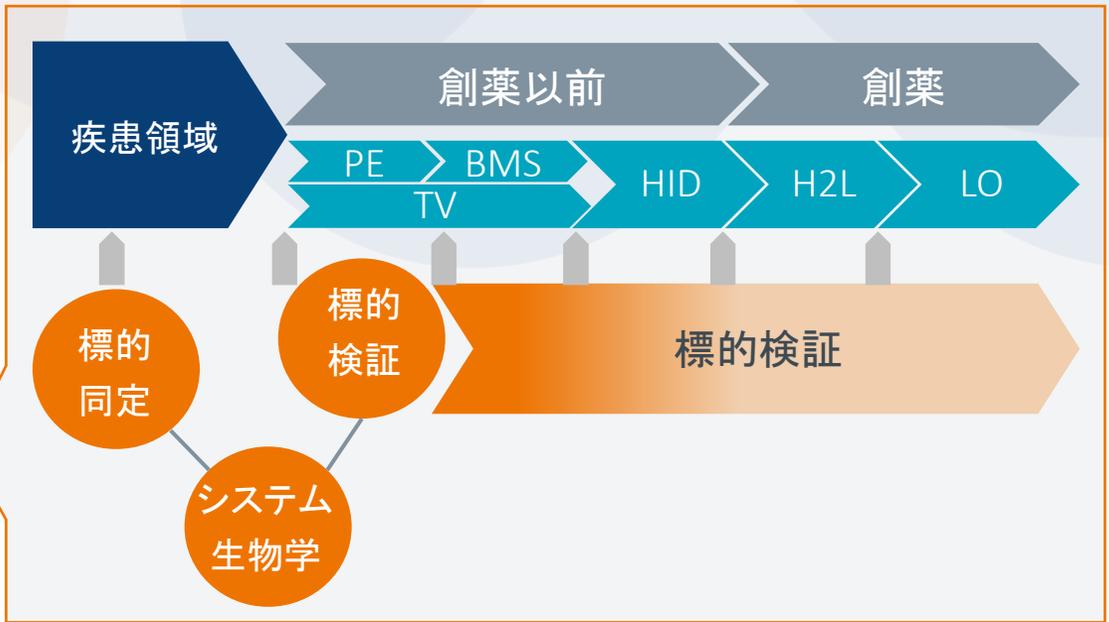
社内での疾患領域に対する取り組み

既存の提携の最大化

新規提携

- 当社グループの関心のある疾患領域(消化器/免疫/神経科学)での支援

来たるターゲットの波に投資する



mAbプラットフォームの構築

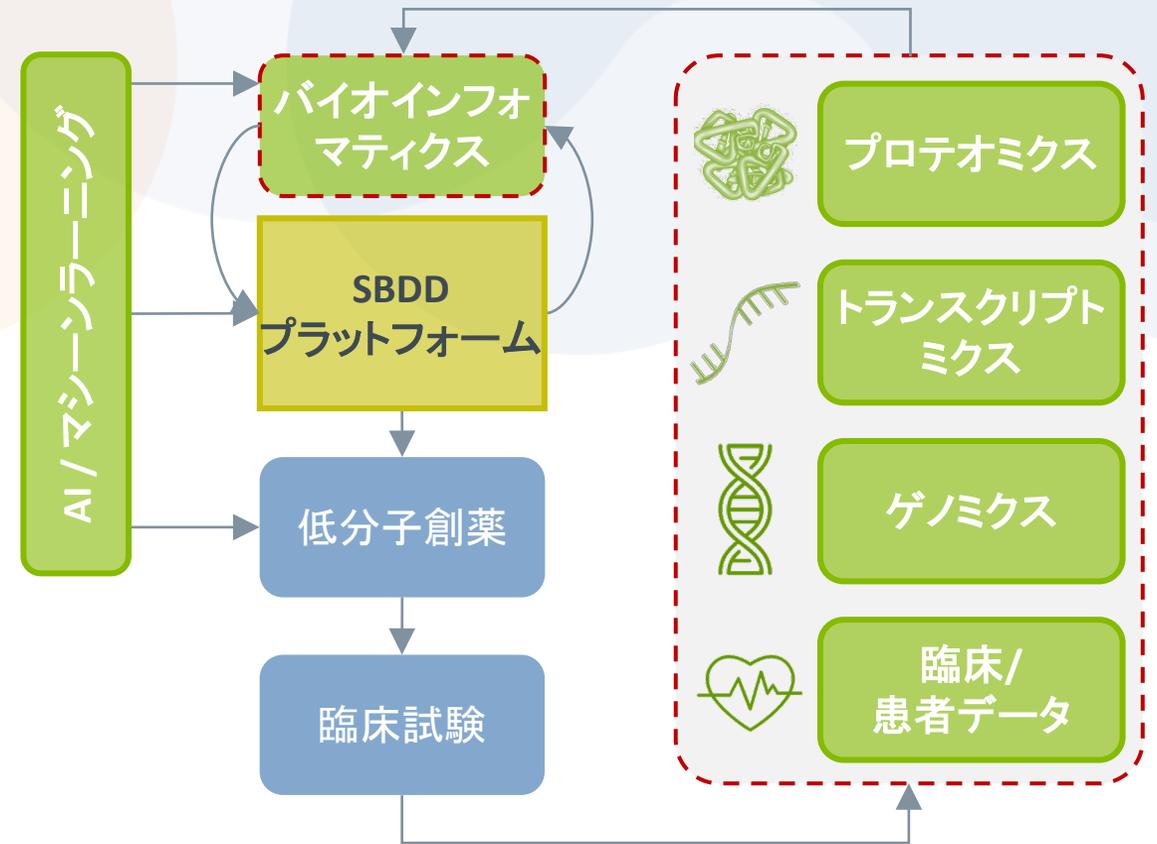
- プラットフォーム最大化のための提携先の特定

2021年以降、外部との技術上の協業・提携を積極的に拡大

注: PE=Protein Engineering (タンパク質工学); BMS=Biomolecular Structure(生体分子構造); TV=Target Validation(ターゲット検証); HID=ヒット化合物同定; H2L=Hit-to-Lead; LO=リード化合物同定

適切なターゲット選択を加速するため、ターゲットの同定と検証 (TIV) のフレームワークを新たに実行

目的	当社グループの取り組む主要な疾患領域(消化器、免疫、がん免疫および神経科学)にわたる新薬開発のためのGPCRターゲットの同定および検証を支援するため
手段	オーミクスプラットフォーム / データベースおよび検証機能を備えた上位の外部企業を活用
理由	提携およびより高い価値の創造を加速するために、疾患 / 作用機序に直接関与していることが示された有望な新規GPCRターゲットをパイプラインに加えることができる



ノウハウおよびSBDDプラットフォームを継続的に拡大し、GPCR創薬におけるリーダーシップを堅持

創薬および開発における三つの大きな課題

重要な機会



適切なターゲットを
選択する

- ターゲットを調節することで疾患に影響を与えるか？
- ターゲットに対する良いモジュレーターを見出せるか？



治療薬を
創薬する

- 適切な特徴を有するモジュレーターを特定する
- 競合が存在する場合は差別化する



患者の適切な検査を
実施する

- 疾患治療薬の価値を実証する
- 患者の層別化を裏付けるためにバイオマーカーを使用する

将来の革新的な治療法となる適切な創薬ターゲットの選択にテクノロジーを活用することが我々の最大の機会

収益を確保するための転機となる可能性を持った企業買収を検討



説明事例 – 試算ベース収益インパクト



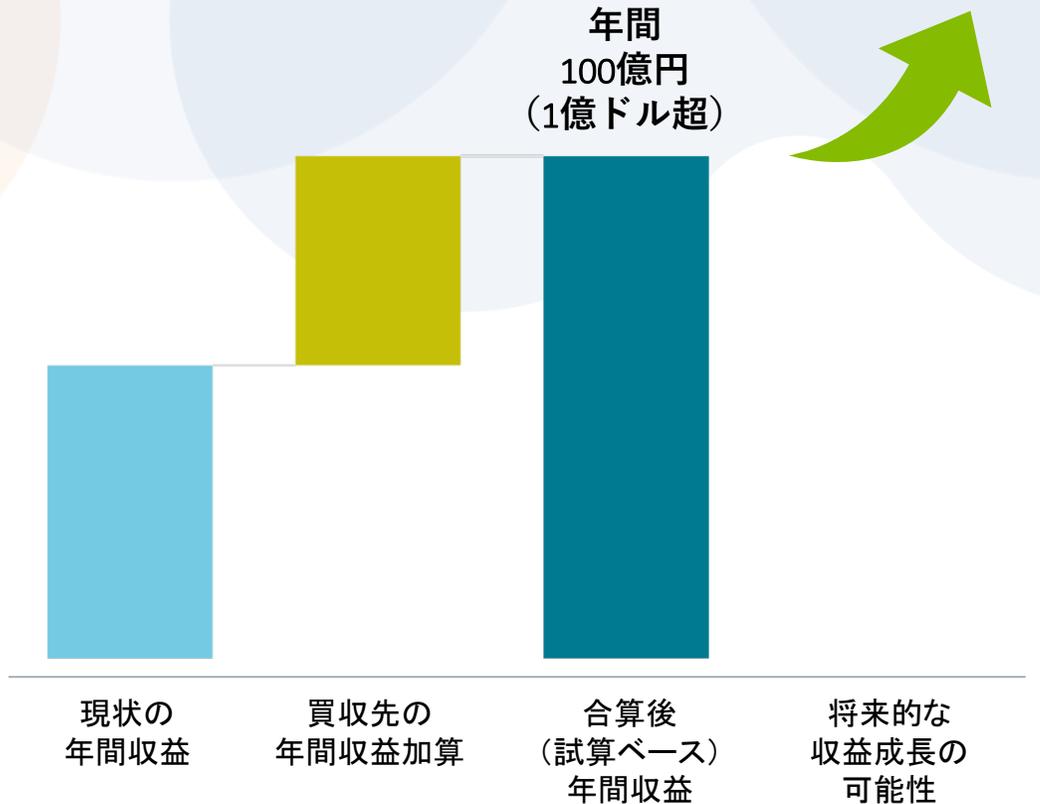
収益を生み出す企業、製品もしくはアセット獲得のための買収先の探索を開始



年間収益が少なくとも50億円(5,000万ドル)かつ増収中であることが対象企業の最低条件



複数の治療領域および/もしくは補完的なビジネスタイプを有する企業を対象に検討中



合算後年間収益が100億円(1億ドル)超のグローバル企業創出を目指す



6

事業目標

2021年度の優先目標



ESGリーダーを目指す

- 全社で持続可能なESGの活動とポリシーを推進
- ヒトコロナウイルスの経口治療薬候補のさらなる開発のためのコロナウイルスプログラム推進および業界パートナーとのコラボレーションの確立



内部成長プランの推進

- テクノロジー / プラットフォームにおけるリーダーシップの拡大
- 高品質な新規医薬品候補の創出
- 創薬および開発パイプラインの充実
- 2~3つの新規提携または共同投資の実現



戦略的成長プランの実行

- 収益創出につながる企業買収を模索
- 新規テクノロジーへの投資と技術提携によりGPCR以外の新規ターゲットへ創薬の範囲を拡大
- 後期臨床開発段階のアセットを日本市場向けに導入

持続可能な未来を確保するための取り組み

2015年9月に国連で採択されたSDGsの17項目



当社のSDGs注力10項目とESGとの対応



E SUSTAINABILITY COMMITTEE

- エネルギーの有効活用および再生可能エネルギーの推進
- 廃棄物の削減および水資源の有効活用
- 創薬産業の効率化

S CHARITY COMMITTEE

- 複数の認知症関連の団体拠出する義援金を集めるためのイベントを主催
- 地域の教育機関に用具を寄附

G ガバナンス体制

- 取締役会 – 6名中5名が独立社外取締役で構成
- 投資委員会および科学諮問委員会が取締役会に対して勧告

ESGに関する当社グループの主な指標



環境

研究所での1人当たりCO2排出量

2020年 **4.17トン**

2019年 **5.07トン**

創薬産業の効率化

創薬数ランキング*

6個 54位/2,258社中

ライセンス金額ランキング**

7,000億円+ 7位/ 世界中の全製薬企業中



社会

ダイバーシティ

女性管理職比率 **26%**

外国籍従業員比率 **78%**

科学コミュニティへの貢献

掲載論文数 **200+**

構造解析数 **340+**

SBDDをCOVID-19の
グローバルな研究開発に活用



ガバナンス

ガバナンス体制

取締役会の社外取締役比率

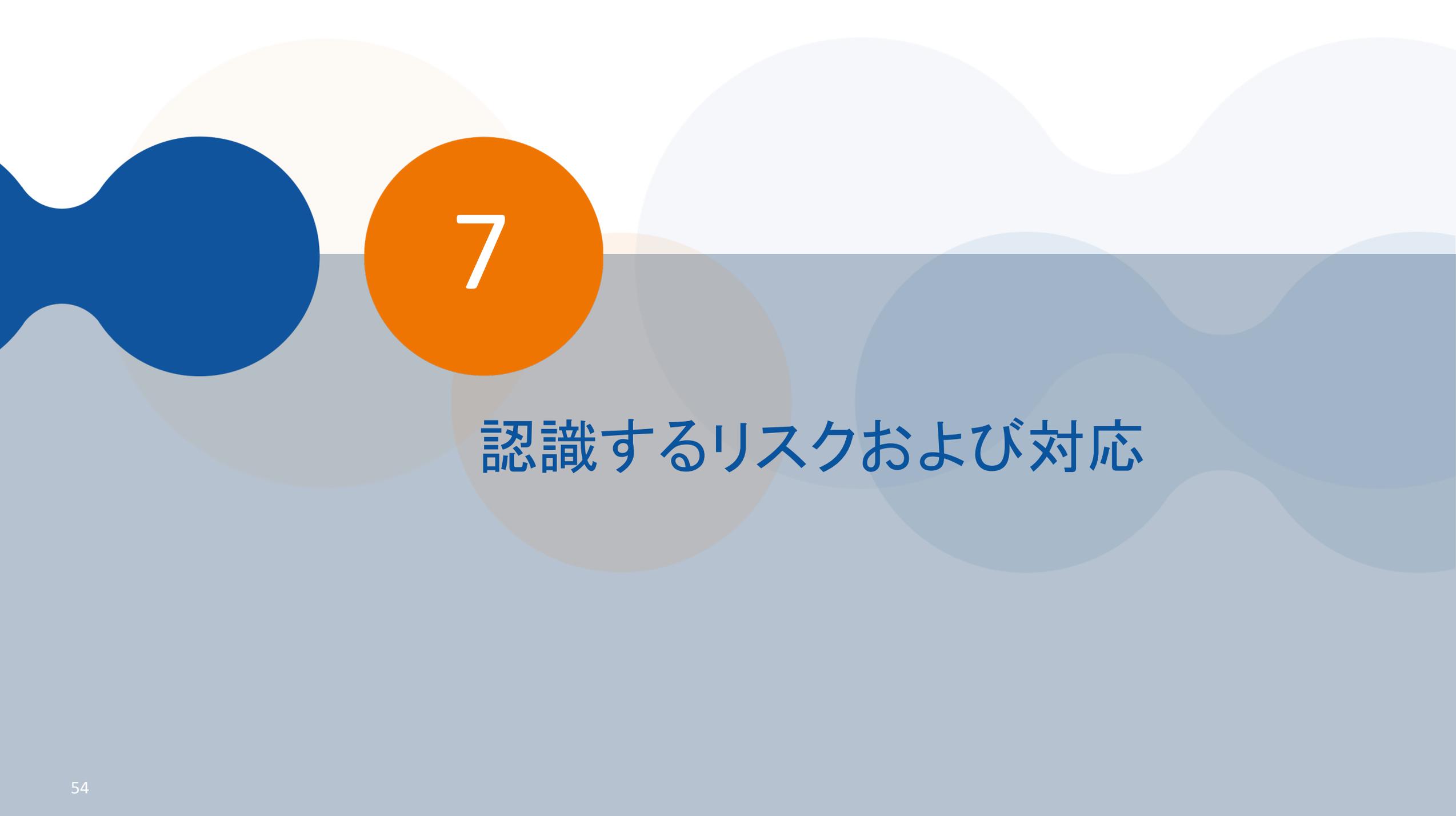
83%

(日本の全製薬企業中トップ)

取締役会の外国籍取締役比率

33%

*直近5年の新規臨床シーズの起源会社の分析。明日の新薬、当社開示資料より作成 **Evaluate Pharma
LINK: <https://www.oseiheptares.com/investors/sustainability.html>



7

認識するリスクおよび対応

当社グループの認識するリスクへの対応①

以下は、成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクです。その他のリスクについては、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

当社グループの認識する主要なリスク

リスクへの対応

業界に関わるリスク

創薬及び初期開発固有のリスク

研究開発の生産性、複雑性やコスト、革新的な開発、業界での急速な企業統合がもたらす関係の変化、特許の有効期限、規制の変更など、業界全体がますます大きな課題に直面しており、大手製薬・バイオ医薬品企業は、業界での競争力を維持するために定期的に事業戦略の見直しを行っています。創薬および初期開発には常に固有のリスクが伴います。当社グループが、提携先とともに、潜在的な医薬品の開発及び商業化を成功させることができる保証はなく、経済的リターンが得られない可能性や無形資産の帳簿価額の減損が必要となる可能性があり、当社グループの財政状態および経営成績に影響がおよぶ可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループの事業戦略は、創薬及び初期開発に注力するというものです。創薬および初期開発における能力を切れ目なく活用するために必要と考えられる、強力な技術プラットフォームとスキルのある従業員を擁しています。また、全ての有望な提携プログラムと長期ベンチャーとの協業を成功させるために、提携先と緊密に連携しています。

商業上のリスク

当社グループは、臨床開発及び商業化のために大手製薬・バイオ医薬品企業にライセンス供与するために、現在、複数の創薬及び初期開発プログラムに継続的に取り組んでいます。実現できない可能性があります。さらに、個々のプロジェクトの存続期間中にライセンスの事業環境が変化したり、プロジェクトの実際の進捗とそれに伴う商業的価値やライセンスを供与した提携プログラムからの受取額が、当初の見積もりから大幅に変動したりする可能性があります。当社グループが提携先へ依存していることも追加的なリスクとなります。例えば、提携先が当社グループの将来の製品に関して十分な時間と資源配分を行わない可能性、または提携により創製された新薬開発候補品の開発の継続及び商業化を行わない可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、創薬から開発にわたる多様でバランスの取れた提携先を確保することにより、これらの創薬及び初期開発固有のリスクや商業上のリスクを軽減しています。

当社グループの認識するリスクへの対応②

当社グループの認識する主要なリスク

リスクへの対応

戦略に関わるリスク

事業戦略の実行に関わるリスク

開発が成功しない新薬開発候補品、または機能しないテクノロジーに対して投資が行われる可能性があります。

投資戦略からのリスク

過去において、当社グループは、非常に有望ではあるものの、実証されていないテクノロジーを有する企業に出資を行ってきました。これらの投資により、重要な価値の転換点への到達につながる、良好なリスクと利益の関係が実現し、ビジネスモデルを加速できる可能性があります。しかし、実証されていないテクノロジーは、無形資産の減損につながる可能性のある失敗のリスクを伴うため、当社グループの財政状態及び経営成績に影響がおよぶ可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、新薬開発候補品を創製するための自社プラットフォームの活用と、新たな導出あるいは共同投資を可能にする重要な価値の転換を生み出すためのパイプラインの強化に注力しています。

また、投資戦略からのリスクを軽減するために、2020年12期において、評価、および戦略的投資の承認に責任を有する当社の取締役会に対して助言を行う投資委員会を新たに設置しました。また過度な資本リスクに晒されないよう、投資に対しては、リスクとリターンのバランスが適切なものになるようなアプローチを取っています。

財務上のリスク

流動性リスク

収益の発生時期、外部事情及び事業環境の変化により収益性と資金繰りが悪影響を受ける可能性があります。

為替変動リスク

当社グループは、主に日本円、ポンド、米ドルの為替変動の影響を受けます。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、現在、十分な資金を有しており、これらのリスクに対処することができます。このようなリスクを軽減するために、資本増強及び他の借り換え手段活用の選択肢を定期的に見直しています。

また、現在および将来の通貨の需要を管理し、将来の為替リスクを軽減することを目的として、綿密なモニタリングを行うことにより、為替リスクへのエクスポージャーを管理しています。

法的規制およびコンプライアンスに関するリスク

当社グループは、法的規制の遵守、契約及び知的財産権が非常に重要とされるグローバルな業界で事業を行っています。さらに、製薬業界では法的規制が厳格化する傾向にあります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

法令および社内規程の遵守を徹底し、法令あるいは社内規定に違反している疑いがある場合には、直ちに直属の管理職またはグループ・チーフ・コンプライアンス・オフィサーに報告することを義務付けています。



8

參考資料

用語集1

基礎用語・基礎技術		
GPCR	G Protein-Coupled Receptor	Gタンパク質共役受容体。人体に約800種類あることが知られ、そのうち400種類が創薬ターゲットになりうるということが知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
StaR	Stabilised Receptor	GPCRに人工的に点変異を起こし、構造を安定化する当社独自の技術。安定化したGPCRの立体構造を解明し、SBDDでの創薬への利用や抗原として抗体医薬の創薬を行うことが可能
SBDD	Structure-Based Drug Design	構造ベース創薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の三次元構造を解析し、それに基づいてコンピューター上で医薬品を設計する手法
TPD	Targeted Protein Degradation	標的タンパク質分解誘導薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の細胞内での分解を促進し、量を減らすことで治療効果を狙う薬剤
PAM	Positive Allosteric Modulator	陽性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を増加させる調整因子
NAM	Negative Allosteric Modulator	陰性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を減少させる調整因子
Ag	Agonist	アゴニスト: 作動薬。受容体に結合し、生体内物質と同様の細胞内情報伝達系を作動させる薬物
Ant	Antagonist	アンタゴニスト: 拮抗薬。受容体に結合し、本来結合すべき生体内物質と受容体の結合を阻害し、生体反応を抑制する薬物
PK	Pharmacokinetics	薬物動態。薬剤の用法・用量と血中濃度の関係に関する研究・試験。主にADMEの速度過程を記述する
PD	Pharmacodynamics	薬力学。薬物濃度と薬理効果の関係に関する研究・試験
ADME	Absorption, Distribution, Metabolism and Excretion	吸収(absorption)・分布(distribution)・代謝(metabolism)・排泄(excretion)の頭文字。薬物の体内への吸収、体内への分布、肝臓などでの代謝、腎臓などでの排泄の一連の流れ
POM	Proof of Mechanism	作用機序の検証。主にバイオマーカーなどを通じて、作用メカニズムの証明を行うこと。POCよりも少数例で有効性を可能性を示唆する意味合い
POC	Proof of Concept	治療概念の実証。主に臨床での有効性と安全性によって、治療概念の証明を行うこと
Ach	Acetylcholine	アセチルコリン。副交感神経や運動神経の末端から放出され、神経刺激を伝える神経伝達物質
IND	Investigational New Drug	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に臨床試験の開始時に提出する、開発候補品の情報をまとめたパッケージとその提出
Ph1	Phase1	ヒトでの試験。第I相臨床試験ともいう。主に健康なボランティアによって開発候補品の安全性を確認することを主目的とする
Ph2	Phase2	ヒトでの試験。第II相臨床試験ともいう。主に小規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確認することを主目的とする
Ph3	Phase3	ヒトでの試験。第III相臨床試験ともいう。主に大規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確定させることを主目的とする
NDA	New Drug Application	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に対して行う、新薬を市販するための承認申請
疾患名・薬品名		
LAMA	Long Acting Muscarinic Antagonist	長時間作用型抗コリン薬。副交感神経を亢進させるアセチルコリンの受容体(M3)に作用し、その働きを阻害することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
LABA	Long Acting Beta2-Agonist	長時間作用型β ₂ 刺激薬。気管支の交感神経β ₂ 受容体を刺激することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
ICS	Inhaled Corticosteroid	吸入ステロイド薬。抗炎症作用で気道の炎症を抑制し、喘息による咳の発作などを予防し、また、β ₂ 刺激薬の作用を促進し、気道過敏性を改善する吸入薬
mCRPC	Metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer	転移性去勢抵抗性前立腺がん。前立腺がんの発生・進行に関与している男性ホルモンを抑える治療を行っているにもかかわらず、再び病状が悪化(再燃)してしまった前立腺がん
COPD	Chronic Obstructive Pulmonary Disease	慢性閉塞性肺疾患。喫煙や有害物質を吸入することで気管支や肺泡がダメージを受け呼吸障害をきたした病態
AD	Alzheimer's Disease	アルツハイマー病。脳の神経細胞の減少、脳の一部の萎縮により認知機能が徐々に低下していく神経変性疾患で、認知症の中で最も多いタイプ
DLB	Dementia with Lewy Bodies	レビー小体型認知症。大脳皮質の神経細胞にレビー小体という物質が沈着し、認知症を生じるもの。アルツハイマー病に次ぎ、2番目に多い認知症

用語集2

創薬ターゲット関連		
M1	Muscarinic M1 Receptor	ムスカリンM1受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。学習、記憶に関与していると考えられている
M4	Muscarinic M4 Receptor	ムスカリンM4受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ドーパミン放出に関与していると考えられている
CGRP	Calcitonin Gene-Related Peptide	カルシトニン遺伝子関連ペプチド。受容体を介して血管拡張、心拍数減少および心筋収縮力増大などに関与していると考えられている
A2A	Adenosine A2A receptor	アデノシンA2A受容体。アデノシン受容体の4種のサブタイプA1、A2A、A2B、A3の1つ。多くの組織に発現し神経活動、血管拡張、免疫調整など多くの機能を持つとされる
GLP-1	Glucagon-like Peptide 1	グルカゴン様ペプチド-1。食事をとると消化管細胞より分泌され、受容体を介した膵臓からのインスリン分泌や中枢での食欲調整に関与するとされる
CCR6	Chemokine Receptors 6	炎症時に発生するケモカインに対応する、Bケモカイン受容体の一種。主に炎症組織内への白血球の遊走活性を制御することで、炎症・免疫に関係するとされている
MC4	Melanocortin 4 Receptor	メラノコルチン受容体4。中枢神経系に発現し、αメラノサイト刺激ホルモンの食欲抑制作用を媒介する主たる受容体
GPR35	G Protein-Coupled Receptor 35	Gタンパク質共役受容体35。オーファン受容体。主に免疫および胃腸組織で発現し、消化管や循環器、炎症、中枢神経系の疾患に関与していると考えられている
CXCR4	CXC Motif Chemokine Receptor 4	CXCモチーフケモカイン受容体タイプ4。がん細胞の遊走を誘導し、転移などの過程に重要であるとされる
mGlu5	Metabotropic Glutamate Receptor 5	代謝型グルタミン酸受容体5。中枢神経系に発現する代謝型グルタミン酸受容体の1つ。グルタミン酸はヒトの神経系で最も豊富に存在する興奮性神経伝達物質として知られる
OX1, OX2	Orexin 1 Receptor, Orexin 2 Receptor	オレキシン1受容体およびオレキシン2受容体。オレキシンは、神経ペプチドの一種であり、受容体を介して覚醒の安定化および睡眠の抑制に関与していると考えられている
GPR52	G Protein-Coupled Receptor 52	線条体において多く発現するオーファン受容体。精神・神経疾患における前頭葉線条体および大脳辺縁系のドーパミンの調節に役割を果たす可能性がある
H4	Histamine H4 Receptor	ヒスタミンH4受容体。特に免疫系細胞に多く発現し、炎症やアレルギーに関与していると考えられている
EP4	Prostaglandin EP4 Receptor	プロスタグランジンE受容体4。自然免疫および獲得免疫を抑制し、腫瘍の進行を誘導すると考えられている
PAR2	Protease-Activated Receptor 2	プロテアーゼ活性化受容体2。炎症、腫瘍転移、胃腸運動、痛み、かゆみのような多くの生理学的および病態生理学的プロセスに関連していると考えられている
SSTR5	Somatostatin Receptor 5	ソマトスタチン受容体5。主に小腸内分泌細胞や膵β細胞に発現している受容体で、ソマトスタチンの結合でGLP-1やPYYなどの消化管ホルモンの分泌を抑制する
GLP-2	Glucagon-like Peptide 2	グルカゴン様ペプチド-2受容体。腸内GLP-2は、栄養摂取時にGLP-1とともに分泌され、腸管の修復、保護にはたらく
Mpro	SARS-CoV-2 Main Protease	SARS-CoV-2 (COVID-19の原因ウイルス)のメインプロテアーゼ(Mpro)。Sars-CoV-2の複製に必須な酵素。抗ウイルス薬の開発に際して標的となるタンパク質の一つ
D2	Dopamine Receptor D2	ドーパミンD2受容体。ドーパミンは運同調節や意欲・学習などに関わる脳内神経伝達物質であり、パーキンソン病や統合失調症に関連していると考えられている
5-HT	5-Hydroxytryptamine Receptor	5-ヒドロキシトリプタミン(セロトニン)受容体。セロトニンは、中枢神経系の伝達物質として、脳機能の調節において重要な役割を果たすと考えられている
オーファン受容体		遺伝子解析などにより存在が知られているものの、リガンドが特定されていない受容体。孤児受容体ともいう
リガンド		特定の受容体に対応して、生体内で特異的に結合する物質。ホルモンや神経伝達物質など。例えば、ムスカリン受容体のリガンドはアセチルコリン



SOSEI HEPTARES

〒102-0083

東京都千代田区麹町2-1

PMO半蔵門11F

The Steinmetz Building

Granta Park, Cambridge

CB21 6DG

United Kingdom

North West House

119 Marylebone Road

London NW1 5PU

United Kingdom