

## 2023年度(2024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	9
VIII.	株式の状況	10
IX.	開発パイプライン表	11
X.	主な開発品のプロフィール	13
XI.	フロンティア事業の主なプログラムの開発状況	17

2023年10月31日

## 住友ファーマ株式会社

- 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。
- 医薬品・医療機器(開発中のものを含む)に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。
- 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)					
	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減率%	2022年度 実績	2023年度 業績予想	増減率%
売上収益	3,193	1,526	△52.2	5,555	3,620	△ 34.8
売上原価 *1	928	603	△35.0	1,767	1,320	△ 25.3
売上総利益	2,264	923	△59.2	3,788	2,300	△ 39.3
販売費及び一般管理費 *1	1,523	1,188	△22.0	3,056	2,200	△ 28.0
研究開発費 *1	494	453	△8.3	1,061	840	△ 20.8
その他の収益・費用 *2	0	59		492	120	
コア営業利益(△は損失)	248	△ 658	—	164	△620	—
非経常項目(△:損) *3	△ 538	△ 206		△ 933	△ 160	
営業利益(△は損失)	△ 289	△ 865	—	△ 770	△ 780	—
四半期(当期)利益(△は損失)	△ 152	△ 677	—	△ 967	△ 800	—
親会社の所有者に帰属する 四半期(当期)利益(△は損失)	△ 73	△ 677	—	△ 745	△ 800	—
基本的1株当たり四半期(当期)利益(円)	△ 18.33	△ 170.51		△ 187.55	△ 201.36	
親会社所有者帰属持分当期利益率(ROE)				△ 14.7%	△ 21.9%	
投下資本利益率(ROIC)				△ 3.9%	△ 8.5%	

2. 連結損益計算書(フルベース)	(億円)			*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
	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減率%	
売上収益	3,193	1,526	△ 52.2	
売上原価	928	603	△ 35.0	
売上総利益	2,264	923	△ 59.2	
販売費及び一般管理費	2,079	1,340	△ 35.5	
研究開発費	500	504	0.8	
その他の収益・費用	25	56		
営業利益(△は損失)	△ 289	△ 865	—	
金融収益・費用	499	304		
税引前四半期利益(△は損失)	210	△ 561	—	
法人所得税	363	116		
四半期利益(△は損失)	△ 152	△ 677	—	
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	△ 73	△ 677	—	

3. 連結キャッシュ・フロー計算書	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	295	△ 1,745	
投資活動によるキャッシュ・フロー	71	327	
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 267	448	
現金及び現金同等物の期末残高	2,506	604	

4. 為替換算レート	期末日レート		平均レート		2023年度 想定レート	為替感応度(2023年度) (1円円安の影響)	
	2023年 3月末	2023年 9月末	2022年 4-9月	2023年 4-9月	平均	売上収益 (億円)	コア営業 利益(億円)
円/USD	133.54	149.58	134.05	141.07	130.00	17	△ 6
円/元	19.42	20.50	19.89	19.75	19.50	17	7

(億円)

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	2022年度 実績	2023年度 予想	前期比 増減額
設備投資額	49	<b>62</b>	12	146	174	28
有形固定資産償却費	68	<b>49</b>	△ 19	120	105	△ 15
無形資産償却費	156	<b>138</b>	△ 18	293	258	△ 35
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	142	<b>124</b>	△ 18	265	229	△ 36

(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。

#### 2023年度の主な設備投資計画

(継続中) 再生・細胞医薬製造施設(米国)、総投資額34百万米ドル、2023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)								
		2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率%					
売上収益		3,193	<b>1,526</b>	△ 1,666	△ 52.2	←	日本	増減	うち為替	
海外売上		2,312	<b>987</b>	△ 1,324	△ 57.3		北米	△ 1,221	+36	
海外売上比率		72.4%	<b>64.7%</b>				アジア	△ 50	+1	
売上原価		928	<b>603</b>	△ 325	△ 35.0					
売上原価率		29.1%	<b>39.5%</b>							
<b>売上総利益</b>		<b>2,264</b>	<b>923</b>	△ 1,341	△ 59.2					
販売費及び一般管理費		1,523	<b>1,188</b>	△ 335	△ 22.0	←	<b>セグメント別増減</b>			
人件費		662	<b>511</b>	△ 151	△ 22.9		日本	△ 29	北米	アジア
販売促進費・広告宣伝費		315	<b>243</b>	△ 72	△ 22.9		人件費	△ 116	△ 6	
減価償却費		183	<b>157</b>	△ 27	△ 14.5		販売促進費・ 広告宣伝費	△ 5	△ 64	△ 4
その他		362	<b>278</b>	△ 85	△ 23.4		減価償却費	△ 5	△ 22	△ 0
研究開発費		494	<b>453</b>	△ 41	△ 8.3		その他	△ 7	△ 83	5
研究開発費売上収益比率		15.5%	<b>29.7%</b>							
その他の収益・費用		0	<b>59</b>	59						
<b>コア営業利益(△は損失)</b>		<b>248</b>	<b>△ 658</b>	△ 907	—					
非経常項目 (△:損)		△ 538	<b>△ 206</b>	331		←	前期: キンモビ減損損失 △544 当期: 北米事業構造改善費用 △203			
<b>営業利益(△は損失)</b>		<b>△ 289</b>	<b>△ 865</b>	△ 576	—					
金融収益		517	<b>320</b>	△ 197						
金融費用		17	<b>17</b>	△ 1						
<b>税引前四半期利益(△は損失)</b>		<b>210</b>	<b>△ 561</b>	△ 772	—					
法人所得税		363	<b>116</b>	△ 247						
<b>四半期利益(△は損失)</b>		<b>△ 152</b>	<b>△ 677</b>	△ 525	—					
<b>親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)</b>		<b>△ 73</b>	<b>△ 677</b>	△ 605	—					

## 2. コア営業利益への調整項目

(億円)

2023年度2Q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	1,526	<b>1,526</b>	—	
売上原価	603	<b>603</b>	—	
<b>売上総利益</b>	<b>923</b>	<b>923</b>	—	
販売費及び一般管理費	1,340	<b>1,188</b>	△ 153	北米事業構造改善費用 △152
研究開発費	504	<b>453</b>	△ 51	北米事業構造改善費用 △51
その他の収益	64	<b>59</b>	△ 6	
その他の費用	9	<b>—</b>	△ 9	
<b>営業利益(△は損失)</b>	<b>△ 865</b>	<b>△ 658</b>	206	

## Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2023年度2Q実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	585	733	208	1,526
売上原価	280	270	53	603
売上総利益	306	463	155	923
販売費及び一般管理費	247	884	56	1,188
<b>コアセグメント利益(△は損失)</b>	<b>59</b>	<b>△ 422</b>	<b>99</b>	<b>△ 264</b>
研究開発費 *1				453
その他の収益・費用(コア内) *2				59
<b>コア営業利益(△は損失)</b>				<b>△ 658</b>

(億円)

2022年度2Q実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	981	1,953	259	3,193
売上原価	560	312	57	928
売上総利益	421	1,642	202	2,264
販売費及び一般管理費	292	1,169	61	1,523
<b>コアセグメント利益</b>	<b>129</b>	<b>473</b>	<b>140</b>	<b>742</b>
研究開発費 *1				494
その他の収益・費用(コア内) *2				0
<b>コア営業利益</b>				<b>248</b>

(億円)

2023年度予想	日本	北米	アジア	合計
売上収益	1,141	2,088	391	3,620
売上原価	542	688	90	1,320
売上総利益	599	1,400	301	2,300
販売費及び一般管理費	477	1,603	120	2,200
<b>コアセグメント利益(△は損失)</b>	<b>122</b>	<b>△ 203</b>	<b>181</b>	<b>100</b>
研究開発費 *1				840
その他の収益・費用(コア内) *2				120
<b>コア営業利益(△は損失)</b>				<b>△ 620</b>

\*1 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

(注) 2023年度1Qより、セグメントを日本、北米、中国、海外その他の4つから、日本、北米、アジアの3つに変更しています。

なお、2022年度2Q実績および2023年度予想については、変更後の区分方法に基づき組み替えています。

## IV. 売上の状況

## 1. セグメント別売上収益

(億円)

地域	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
日本	981	585	△ 395	△ 40.3	1,141	51.3
北米	1,953	733	△ 1,221	△ 62.5	2,088	35.1
アジア	259	208	△ 50	△ 19.5	391	53.2

## 2. 主要製品の売上収益①

(仕切価ベース、億円)

品目 [薬効]	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率%	2023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 [2型糖尿病治療剤] '19.11~	173	158	△ 15	△ 8.7	324	48.7
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	86	85	△ 0	△ 0.5	150	57.0
ラゾーダ [非定型抗精神病薬] '20.6~	46	57	11	23.3	125	45.8
メトグルコ [2型糖尿病治療剤]	40	37	△ 2	△ 5.8	75	49.6
ツイミーグ [2型糖尿病治療剤] '21.9~	5	26	21	420.7	42	62.9
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬] '19.9~	14	18	4	31.7	33	55.5
トルリシティ * [2型糖尿病治療剤]	167	—	△ 167	—	—	—
<b>その他品目</b>						
オーソライズドジェネリック品	46	46	△ 0	△ 0.7	86	53.5
輸出、一時金収入、その他	404	157	△ 247	△ 61.2	306	51.3

\* トルリシティの売上収益は薬価ベースの数値

## 2. 主要製品の売上収益②

(億円)

品目 [薬効]	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
<b>北米</b>						
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤] '21.1～	106	194	88	82.4	515	37.7
マイフェンブリー [子宮筋腫・子宮内膜症治療剤] '21.6～/'22.8～	14	42	28	198.5	249	16.7
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤] '21.4～	95	158	64	67.2	470	33.6
アプティオム [抗てんかん剤]	174	161	△ 12	△ 7.0	355	45.5
リサイミック [小児先天性無胸腺症治療剤] '22.3～	26	31	5	20.3	70	44.0
ラツーダ [非定型抗精神病薬]	1,276	40	△ 1,236	△ 96.8	209	19.3
輸出、一時金収入、その他	263	107	△ 157	△ 59.6	220	48.4
<b>アジア</b>						
メロペン(中国) [カルバペネム系抗生物質製剤]	187	102	△ 85	△ 45.3	187	54.8
メロペン(東南アジア) [カルバペネム系抗生物質製剤]	13	40	27	200.7	49	82.5

## (参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
オルゴビクス	79	138	58	73.3	396	34.7
マイフェンブリー	10	29	19	183.6	192	15.4
ジェムテサ	71	112	42	58.9	362	31.0
アプティオム	129	114	△ 15	△ 11.6	273	41.9
リサイミック	19	22	3	14.3	54	40.4
ラツーダ	952	29	△ 923	△ 97.0	161	17.7

## V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2023年 3月末	2023年 9月末	対前年度末 増減額
<b>資産</b>	<b>11,347</b>	<b>11,489</b>	<b>141</b>
(非流動資産)	<b>7,529</b>	<b>8,561</b>	<b>1,032</b>
有形固定資産	589	602	13
のれん	2,094	2,346	252
無形資産	3,293	3,566	273
特許権・販売権	3,109	3,355	246
仕掛研究開発	117	143	26
その他	67	68	1
その他の金融資産	1,340	1,829	489
その他の非流動資産	104	124	20
繰延税金資産	108	95	△ 14
(流動資産)	<b>3,819</b>	<b>2,927</b>	<b>△ 891</b>
棚卸資産	944	1,076	132
営業債権及びその他の債権	959	939	△ 20
その他の金融資産	202	80	△ 121
その他の流動資産	204	228	24
現金及び現金同等物	1,435	604	△ 831
売却目的で保有する資産	75	—	△ 75
<b>負債</b>	<b>7,280</b>	<b>7,368</b>	<b>89</b>
(非流動負債)	<b>3,553</b>	<b>3,661</b>	<b>108</b>
社債及び借入金	2,441	2,442	1
その他の金融負債	119	125	7
退職給付に係る負債	50	49	△ 1
その他の非流動負債	578	476	△ 102
繰延税金負債	365	568	203
(流動負債)	<b>3,727</b>	<b>3,707</b>	<b>△ 19</b>
借入金	906	1,396	490
営業債務及びその他の債務	521	577	56
その他の金融負債	70	139	69
未払法人所得税	241	126	△ 115
引当金	1,191	925	△ 266
その他の流動負債	780	544	△ 236
売却目的で保有する資産に 直接関連する負債	18	—	△ 18
<b>資本</b>	<b>4,068</b>	<b>4,120</b>	<b>53</b>
資本金	224	224	—
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	2,810	2,174	△ 636
その他の資本の構成要素	1,034	1,729	695
売却目的で保有する資産に 関連するその他の包括利益	7	—	△ 7
親会社の所有者に帰属する持分	4,067	4,120	53
非支配持分	0	0	0

のれん内訳	23/3	23/9
オンコロジー以外	1,837	2,057
オンコロジー関連	258	289

主な特許権	23/3	23/9
オルゴビクス(レルゴリクス)	661	715
マイフェンブリー(レルゴリクス)	1,425	1,541
ジエムテサ(ヒペグロン)	947	1,017

有価証券の公正価値変動による増加

社債・借入金合計	3,347 → 3,838
----------	---------------



## VI. 四半期業績の推移

## 1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2022年度				2023年度	
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
売上収益	1,599	1,594	1,410	953	757	770
売上原価	461	468	469	370	304	299
売上総利益	1,138	1,126	941	583	453	471
販売費及び一般管理費	760	762	753	781	618	569
研究開発費	244	250	255	312	228	225
その他の収益・費用(コア内)	0	△ 0	247	244	59	△ 0
コア営業利益(△は損失)	134	115	181	△ 266	△ 335	△ 323
非経常項目(△:損)	12	△ 550	△ 69	△ 326	△ 181	△ 26
営業利益(△は損失)	146	△ 435	111	△ 592	△ 516	△ 349
四半期利益(△は損失)	281	△ 433	△ 174	△ 641	△ 389	△ 289
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	311	△ 384	△ 112	△ 560	△ 389	△ 289

## 2. 主要製品の売上収益

	2022年度				2023年度	
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
<日本>	(億円)					
エクア・エクメット	88	85	100	63	82	76
トレリーフ	44	42	45	36	44	41
ラソーダ	23	24	26	23	28	29
メトグルコ	20	20	20	17	19	18
ツイミーグ	1	4	8	9	12	15
ロナセンテープ	7	7	8	7	9	9
トルリシティ *	86	80	81	△ 0	—	—
オーソライズドジェネリック品	23	23	24	21	23	23
輸出、一時金収入、その他	239	185	182	193	86	71

\* トルリシティの売上収益は薬価ベースの数値

	(百万ドル)					
<北米>	(百万ドル)					
オルゴビクス	36	43	49	54	68	70
マイフェンブリー	4	6	11	12	13	16
ジェムテサ	34	37	54	57	63	49
アプティオム	65	65	61	58	58	57
リサイミック	5	14	3	11	11	11
ラソーダ	482	470	362	151	8	20
輸出、一時金収入、その他	108	98	41	33	37	39

	(億円)					
<アジア>	(億円)					
メロペン(中国)	91	96	51	47	44	58
メロペン(東南アジア)	8	5	9	8	23	18

## VII. 主要な連結子会社の状況(2023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
住友ファーマプロモ株式会社	1998/ 6	100%	32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
Sumitomo Pharma UK Holdings, Ltd.	2019/10	100%	0名	持株会社、 グループ会社の管理および事業戦略等の策定推進
Sumitomo Pharma America, Inc.	1984/ 1	100%	*1,715名	医療用医薬品の製造、販売
Sumitomo Pharma Switzerland GmbH	2016/ 8	100%	20名	医療用医薬品(婦人科、前立腺がん)の製造、販売
Spirovant Sciences, Inc.	2019/ 2	100%	30名	医療用医薬品(嚢胞性線維症(遺伝子治療))の研究開発
住友制薬投資(中国)有限公司	2022/ 6	100%	54名	持株会社、現地法人の管理統括等
住友制薬(蘇州)有限公司	2003/12	100%	589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

(注) 当社グループとしてブランドの統一を図るため、Sunovion Pharmaceuticals Inc.はSumitomo Pharma America, Inc.に、Sumitovant Biopharma Ltd.はSumitomo Pharma UK Holdings, Ltd.に、Myovant Sciences GmbHはSumitomo Pharma Switzerland GmbHに、それぞれ商号を変更しました。

参考)従業員数(名)	2022/3/31		2023/3/31		2023/9/30	
連結/個別	6,987	3,040	6,250	3,026	5,686	3,002
MR人数(概数、コントラクトMR含む)						
日本 マネージャー除く/総数	1,110	1,220	1,040	1,140	920	1,020
米国 マネージャー除く/総数	820	950	500	580	420	500
中国 マネージャー除く/総数	340	420	270	340	270	340

## Ⅷ. 株式の状況(2023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608,798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	29	70,261	17.66
金融商品取引業者	50	4,620	1.16
その他の法人	389	222,498	55.92
外国法人等	541	46,695	11.74
個人・その他(自己株式を含む)	42,781	53,822	13.52
合計	43,790	397,900	100.00

(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)	27,308	6.87
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	12,517	3.15
稲畑産業株式会社	8,782	2.21
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4)	3,847	0.97
BNYM AS AGT/CLTS 10 PERCENT	3,467	0.87
住友ファーマ従業員持株会	3,292	0.83

(注1) 持株比率は、自己株式(608,798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. 開発パイプライン表(2023 年 10 月 31 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。
- 同じ地域・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
低分子	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
		大うつ病補助療法 (aMDD)	米国	フェーズ 2/3
		全般不安症 (GAD)	米国・日本	フェーズ 2/3
		パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 2
	ラツータ (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
	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 2 (医師主導治験)
	SEP-378614	未定	米国	フェーズ 1
	SEP-380135	未定	米国	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
	DSP-9632P	パーキンソン病におけるレボドパ誘発性ジスキネジア	日本	フェーズ 1
	DSP-0187	ナルコレプシー	日本	フェーズ 1
DSP-3456	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1	
DSP-0378	ドラベ症候群、レノックス・ガストー症候群	日本	フェーズ 1	
DSP-2342	未定	米国	フェーズ 1	
再生・細胞 医薬	CT1-DAP001/DSP-1083 (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)
			米国	治験開始に向けて準備中
	HLCR011 (他家 iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞)	網膜色素上皮裂孔 (RPE tear)	日本	フェーズ 1/2

## 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
TP-3654	骨髄線維症	米国・日本	フェーズ 1/2
DSP-5336	急性白血病	米国・日本	フェーズ 1/2
DSP-0390	膠芽腫	米国・日本	フェーズ 1
TP-1287	固形がん	米国	フェーズ 1
TP-1454	固形がん	米国	フェーズ 1

## 3. その他領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
lefamulin	細菌性市中肺炎	中国	申請(2021/10)
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
ビベグロン	過活動膀胱	中国	フェーズ 3
SP-101	嚢胞性線維症	米国	フェーズ 1/2
KSP-1007	複雑性尿路感染症および複雑性腹腔内感染症	米国	フェーズ 1

## 【前回 2023 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
SEP-4199	双極 I 型障害うつ	米国・日本	フェーズ 3	試験中止のため表から削除、開発方針検討中
DSP-3905	神経障害性疼痛	米国	フェーズ 1	導出したため表から削除

## X. 主な開発品のプロフィール(2023 年 10 月 31 日現在)

## 1. 精神神経領域

## 【低分子】

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

- 開発段階: (大塚製薬株との共同開発)  
統合失調症: フェーズ 3(米国)  
統合失調症: フェーズ 2/3(日本・中国)  
大うつ病補助療法 (aMDD): フェーズ 2/3(米国)  
全般不安症 (GAD): フェーズ 2/3(米国・日本)  
パーキンソン病に伴う精神病症状: フェーズ 2(米国)
- 本剤は、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。旧 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。本剤は、2019 年 5 月に統合失調症の適応で米国食品医薬品局 (FDA) からブレイクスルーセラピー指定を受けている。
- 急性増悪期の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、副作用はプラセボと同様であった。特に本剤は、錐体外路症状、体重増加、脂質またはグルコースの変化、プロラクチン上昇とは関連がなかった。フェーズ 3 (DIAMOND 1 および 2) は、主要評価項目を達成しなかったが、いずれの試験もプラセボ投与群で大きな改善が観察され、本剤の有効性をマスクした可能性がある。安全性に関しては総じて良好な安全性と忍容性が示された。統合失調症の今後の開発方針は大塚製薬と検討中。

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

- 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 2(医師主導治験\*) (日本) \*実施者: 徳島大学
- 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。

**SEP-378614** 起源: 自社(旧 Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 開発段階: フェーズ 1(米国) (大塚製薬株との共同開発)
- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。旧 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、即効性の抗うつ薬様活性を示すことが示唆されている。

**SEP-380135** 起源: 自社(旧 Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 開発段階: フェーズ 1(米国) (大塚製薬株との共同開発)
- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。旧 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。

**DSP-0038** 起源: 自社 (Exscientia 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 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)
- 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行動・心理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、既存の抗精神病薬に比べ高い安全性・忍容性が期待できる。

**DSP-9632P**

起源：自社、剤形：テープ剤

- ・ 開発段階：パーキンソン病におけるレボドパ誘発性ジスキネジア フェーズ 1(日本)
- ・ 本剤は、セロトニン 5-HT<sub>1A</sub> 受容体パーシャルアゴニストである。レボドパ由来のドパミン過剰放出を抑制することで、レボドパ投与後に発現するレボドパ誘発性ジスキネジアへの効果を発揮することが期待される。非臨床試験において、レボドパ投与によって誘発されたジスキネジア症状を抑制することが示唆されている。本剤は、経皮吸収型製剤であり安定した血中濃度を示すことで、パーキンソン病におけるレボドパ誘発性ジスキネジアに対して効果的な治療法になるとともに、投与面で患者の利便性向上につながる可能性がある。

**DSP-0187**

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 開発段階：ナルコレプシー フェーズ 1(日本)
- ・ 本剤は、選択的オレキシン 2 受容体作動薬である。オレキシンの欠乏によって生じるナルコレプシーの日中過眠や情動脱力発作を中心とした各症状の改善効果が期待される。また、ナルコレプシー以外の過眠疾患への適応も期待される。2022 年 4 月、日本・中国・その他アジアの一部を除くテリトリーでの独占的開発・販売権を Jazz 社に導出した。

**DSP-3456**

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 開発段階：治療抵抗性うつ フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、代謝型グルタミン酸受容体 2/3 ネガティブアロステリックモジュレーター(mGluR2/3 NAM)である。ケタミンが惹起する副作用(精神病様症状、認知機能障害)を回避しつつ、グルタミン酸の遊離促進による前頭前皮質の選択的な活性化を介したケタミン様の抗うつ作用を示すことが期待される。

**DSP-0378**

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 開発段階：ドラベ症候群およびレノックス・ガストー症候群 フェーズ 1(日本)
- ・ 本剤は、γ-アミノ酪酸(GABA)<sub>A</sub> 受容体ポジティブアロステリックモジュレーターである。シナプス領域およびシナプス外領域に発現する様々なサブタイプの GABA<sub>A</sub> 受容体に対し、ベンゾジアゼピン系薬剤および神経ステロイドなど、既知の GABA<sub>A</sub> 受容体賦活化作用を持つ化合物とは異なる様式で作用する。ドラベ症候群や レノックス・ガストー症候群などの希少難治性疾患を含む、広範なてんかんに対する治療薬となることが期待される。

**DSP-2342**

起源：自社(Exscientia 社との共同研究)、剤形：経口剤

- ・ 開発段階：フェーズ 1(米国)
- ・ 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> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体へのアンタゴニスト活性を有する。5-HT<sub>2A</sub> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体へのアンタゴニスト活性を併せ持つことで精神病症状や不安・うつ症状など幅広く精神症状に有効性を示すことが期待される。また、本剤は 5-HT<sub>2A</sub> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体への選択性を高めていることから、高い安全性・忍容性が期待できる。

**【再生・細胞医薬】**

当社は産学の連携先と、パーキンソン病、網膜色素上皮裂孔・加齢黄斑変性、網膜色素変性、脊髄損傷を対象に、他家(健康人)iPS 細胞を用いた他家 iPS 細胞由来細胞製品を開発している。

**CT1-DAP001/DSP-1083(他家 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞)**

- ・ 連携先：京都大学 iPS 細胞研究所
- ・ 開発段階：
  - パーキンソン病：フェーズ 1/2(医師主導治験\*)(日本) \*実施者：京都大学医学部附属病院
  - パーキンソン病：治験開始に向けて準備中(米国)

- ・ 2017 年 2 月にパーキンソン病の適応で厚生労働省から再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定を受けている。

### **HLCR011(他家 iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞)**

- ・ 連携先: 理化学研究所・ヘリオス
- ・ 開発段階: 網膜色素上皮裂孔(RPE tear): フェーズ 1/2(日本)

## **2. がん領域**

### **TP-3654**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 骨髄線維症 フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 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。本剤は、2022 年 5 月に骨髄線維症の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

### **DSP-5336**

起源: 自社(京都大学との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 急性白血病 フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 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となる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。本剤は、2022 年 6 月に急性骨髄性白血病の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

### **DSP-0390**

起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 膠芽腫 フェーズ 1(米国・日本)
- ・ 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。本剤は、2022 年 5 月に脳腫瘍の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

### **TP-1287**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 固形がん フェーズ 1(米国)
- ・ 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。本剤は、2023 年 2 月にユーイング肉腫の適応で FDA から小児希少疾患、2023 年 3 月にオーファンドラッグ指定を受けている。

### **TP-1454**

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 固形がん フェーズ 1(米国)
- ・ 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。



## 3. その他領域

**ジェムテサ(ビベグロン)**

起源: Merck Sharp &amp; Dohme 社、剤形: 経口剤

- ・ 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)  
過活動膀胱 フェーズ 3(中国)
- ・ 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。旧 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。

**lefamulin**

起源: Nabriva 社、剤形: 経口剤、注射剤

- ・ 開発段階: 細菌性市中肺炎 2021 年 10 月申請(中国)
- ・ 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。

**SP-101**

起源: 自社(Spirovant 社)、剤形: 吸入用懸濁液

- ・ 開発段階: 嚢胞性線維症 フェーズ 1/2(米国)
- ・ 本剤は、嚢胞性線維症(CF)患者の気道上皮に効率よく送達され、短い完全に機能する嚢胞性線維症膜コンダクタンス制御因子(CFTR)遺伝子を効率よく導入するように設計されたアデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターである。非臨床試験において、ドキシソルビシンの添加により、本剤の気道上皮への送達および CFTR 遺伝子の発現が大幅に改善されることが示され、本剤とドキシソルビシンをネブライザーで投与するコンビネーション製品として開発している。これにより、CF 患者において失われていた CFTR の機能が回復し、肺疾患の進行を抑制することが期待される。

**KSP-1007**

起源: 自社(北里研究所との共同研究)、剤形: 注射剤

- ・ 開発段階: 複雑性尿路感染症および複雑性腹腔内感染症 フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、カルバペネム系抗菌薬を分解する細菌由来の酵素である  $\beta$ -ラクタマーゼを広域かつ強力に阻害する作用を有している。本剤は世界的に汎用されているカルバペネム系抗生物質製剤メロペネム水和物(当社の日本での製品名「メロペン<sup>®</sup>」)との配合剤とすることにより、カルバペネム耐性菌による感染症に対しても有効な治療選択肢となることが期待されている。本剤は、2022 年 8 月に細菌性の複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、院内肺炎/人工呼吸器関連肺炎脳腫瘍の適応で FDA から適格感染症治療製品およびファストトラック指定を受けている。

## XI. フロントティア事業の主なプログラムの開発状況(2023 年 10 月 31 日現在)

- 当社は、アカデミアやスタートアップ企業との協業により、メンタルレジリエンス(精神神経疾患の兆候を早期に把握することによる悪化の未然防止)、アクティブエイジング(高齢者の健康の意識レベルからの改善および維持・向上)などの領域において、デジタル技術などを活用した医薬品以外の新たなヘルスケアソリューションの研究開発・事業化を推進しています。主なプログラムの開発状況は以下の通りです。

領域	プログラム	概要	開発状況	連携先
精神神経	認知症行動・心理症状用機器	General Wellness 品として「Aikomi ケア、Aikomi DS」を試験販売中。非薬物療法をデジタルで実現し、個別最適化された五感刺激コンテンツを含む DTx 品を研究開発中であり、承認機器としての保険償還を目指す。	日本 臨床研究準備中 (医療機器)	(株)Aikomi
	社交不安障害向け VR コンテンツ(BVR-100)	暴露療法や認知再構築トレーニングなど認知行動療法(CBT)に即したモジュール等を VR コンテンツ化した DTx 品を開発中。General Wellness 品としてのメンタルヘルス VR コンテンツ「First Resort」を上市済み。	米国 臨床試験準備中 (医療機器)	BehaVR 社
	ウェアラブル脳波計	日常的にどこでも簡単に前頭 2 極から測定可能な簡易型脳波計。これにより、脳波トレンドを把握し精神疾患の早期検知を可能にするサービスを目指す。	日本 製品開発中 (医療機器)	(株)ニューロスカイ
	うつ病検出・重症度評価支援プログラム	リストバンド型のウェアラブルデバイスの情報から機械学習を用いて、うつ病の早期発見や重症度評価を客観的、定量的かつ簡便に行えるソフトウェアを開発し、薬事承認を得て臨床現場に導入することを目指す。	日本 製品開発中 (医療機器)	慶應義塾大学、 i2medical 合同会社
	バイオレットライト	40Hz に点滅するバイオレットライトによる視覚を介したニューロモジュレーション技術を開発し、精神疾患の治療・予防を目指す。	日本 製品開発中 (医療機器)	(株)坪田ラボ
運動機能障害	手指麻痺用ニューロリハビリテーション機器	認証機器「MELTz」として上市済み。手指麻痺等を対象に、筋電信号を利用したロボットニューロリハビリテーション装置について、承認機器としての保険償還を目指す。	日本 製品開発中 (医療機器)	(株)メルティン MMI
	手指麻痺用トレーニング機器	「MELTz Portable」として開発中。手指麻痺等を対象に、筋電信号を利用したロボットを用いてトレーニングを行う小型で簡易な装置を目指す。	日本 製品開発中 (非医療機器)	(株)メルティン MMI
代謝性疾患	自動採血・保存デバイス	代謝性疾患などの自己管理ツールとして、低疼痛・長期保存・簡易輸送を実現する採血デバイスを目指す※。	日本 製品開発中 (医療機器)	Drawbridge Health 社

※国内事業に関する内容・権利については、現在 Drawbridge Health 社と協議中であり、同社と合意されたものではありません。

以上