

2023年度（2024年3月期） 第3四半期決算 決算説明会

2024年1月31日

住友ファーマ株式会社

■ 将来予測に関する事項

- 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・目標など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など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。

2023年度3Q決算概要

2023年度3Q決算概要

2023年度第3四半期 経営成績（コアベース）

金額単位：億円

業績予想を修正しています
(P.9参照)

| | 2022年度 3Q実績 | 2023年度 3Q実績 | 増減 | | | 2023年度 | |
|---------------------------|----------------|----------------|--------|------------|-------|--------|-------|
| | | | 金額 | うち 為替影響 | % | 5/15予想 | % |
| 売上収益 | 4,603 | 2,350 | △2,252 | 59 | △48.9 | 3,620 | 64.9 |
| 売上原価 | 1,397 | 932 | △465 | △125 | △33.3 | 1,320 | 70.6 |
| 売上総利益 | 3,205 | 1,418 | △1,787 | 184 | △55.7 | 2,300 | 61.7 |
| 販売費及び一般管理費 | 2,275 | 1,766 | △509 | 61 | △22.4 | 2,200 | 80.3 |
| 研究開発費 | 749 | 680 | △69 | 21 | △9.2 | 840 | 80.9 |
| その他の収益・費用（コア内） | 248 | 64 | △184 | — | — | 120 | |
| コア営業利益 | 429 | △964 | △1,393 | 101 | — | △620 | 155.5 |
| 非経常項目（△：損） | △607 | △214 | 393 | | | △160 | |
| 営業利益 | △178 | △1,177 | △1,000 | | — | △780 | 151.0 |
| 金融収益・費用 | 200 | 126 | △74 | | | △30 | |
| 税引前四半期（当期）利益 | 22 | △1,052 | △1,074 | | — | △810 | |
| 法人所得税 | 348 | 125 | △223 | | | △10 | |
| 四半期（当期）利益 | △326 | △1,177 | △851 | | — | △800 | 147.1 |
| 親会社の所有者に 帰属する四半期（当期）利益 | △185 | △1,177 | △992 | | — | △800 | 147.1 |

【平均レート】

2022年度3Q実績：1\$ = 136.51円 1元 = 19.88円
 2023年度3Q実績：1\$ = 143.33円 1元 = 19.98円
 2023年度予想：1\$ = 130.00円 1元 = 19.50円

【期末日レート】

2023年3月末：1\$ = 133.54円 1元 = 19.42円
 2023年12月末：1\$ = 141.83円 1元 = 19.94円

- ラツォダの米国での独占販売期間終了により、売上収益が大きく減少
- その他の収益・費用の主な内訳
（当期）
住友ファーマアニマルヘルス社の株式譲渡
（前期）
米国での一部の製品譲渡および優先審査バウチャー売却
- 非経常項目の主な内訳
（当期）
北米事業構造改善費用
（前期）
キンモビの減損損失

2023年度3Q決算概要

2023年度第3四半期 経営成績（コアベース）計画比

金額単位：億円

| | 2023年度 3Q計画 | 2023年度 3Q実績 | 増減 | | | |
|----------------|----------------|----------------|------|----------|-----|------------|
| | | | 金額 | 達成率 % | 為替差 | 実質達成率 % |
| 売上収益 | 2,613 | 2,350 | △263 | 89.9 | 119 | 85.4 |
| 売上原価 | 954 | 932 | △22 | 97.7 | 52 | 92.3 |
| 売上総利益 | 1,659 | 1,418 | △241 | 85.5 | 67 | 81.5 |
| 販売費及び一般管理費 | 1,676 | 1,766 | 90 | 105.4 | 121 | 98.2 |
| 研究開発費 | 631 | 680 | 49 | 107.7 | 40 | 101.3 |
| その他の収益・費用（コア内） | 70 | 64 | △6 | | — | |
| コア営業利益 | △578 | △964 | △386 | — | △94 | — |

【平均レート】
 2023年度3Q実績：1\$ =143.33円 1元=19.98円
 2023年度計画：1\$ =130.00円 1元=19.50円

2023年度3Q決算概要

主要製品売上収益（北米）

| | 2022年度 | 2023年度 | 前年 同期比 | 2022年度 | 2023年度 | 前年同期比 | | | 2023年度 | | |
|-------------|--------|------------|-----------|--------|--------------|--------|------------|-------|--------|-------|-----------|
| | 3Q実績 | 3Q実績 | | 3Q実績 | 3Q実績 | 増減額 | うち 為替影響 | % | 5/15予想 | | 円ベース % |
| 北米 | 百万ドル | | | 億円 | | | 百万ドル | 億円 | | | |
| オルゴビクス | 128 | 215 | 87 | 175 | 309 | 134 | 15 | 76.6 | 396 | 515 | 60.0 |
| マイフェンブリー | 21 | 49 | 29 | 29 | 71 | 42 | 3 | 148.2 | 192 | 249 | 28.5 |
| ジェムテサ | 125 | 174 | 49 | 170 | 249 | 79 | 12 | 46.5 | 362 | 470 | 53.0 |
| アプティオム | 191 | 175 | △15 | 260 | 252 | △9 | 12 | △3.3 | 273 | 355 | 70.9 |
| リサイミック | 22 | 30 | 8 | 30 | 43 | 13 | 2 | 44.3 | 54 | 70 | 61.5 |
| ラツータ | 1,313 | 36 | △1,278 | 1,793 | 51 | △1,742 | 2 | △97.2 | 161 | 209 | 24.4 |
| その他 | 74 | 12 | △62 | 101 | 17 | △84 | 1 | △83.5 | 167 | 220 | 81.5 |
| 輸出、一時金収入等 ※ | 173 | 114 | △60 | 237 | 163 | △74 | 8 | △31.2 | | | |
| 合計 | 2,046 | 805 | △1,241 | 2,794 | 1,154 | △1,640 | 55 | △58.7 | 1,605 | 2,088 | 55.3 |

＜参考＞
 基幹3製品
 3Q計画の達成率
 (百万ドル)

| 計画 | 実績 | % |
|-----|-----|------|
| 265 | 215 | 81.4 |
| 116 | 49 | 42.6 |
| 246 | 174 | 70.8 |

■ 前年同期の「輸出、一時金収入等」のうち、オルゴビクスの欧州における導出一時金 \$50M
 (表下の内訳参照)

※ 主な一時金収入等

| 2022年度 3Q | ファイザー社との提携に関する繰延収益 | \$109M | 2023年度 3Q | ファイザー社との提携に関する繰延収益 | \$88M |
|--------------|--------------------|--------|--------------|-------------------------------|-------|
| | オルゴビクスの欧州における導出一時金 | \$50M | | マイフェンブリーの欧州における子宮内膜症承認マイルストーン | \$9M |

【平均レート】
 2022年度3Q実績：1\$ = 136.51円
 2023年度3Q実績：1\$ = 143.33円
 2023年度予想：1\$ = 130.00円

2023年度3Q決算概要

主要製品売上収益（日本・アジア）

金額単位：億円

| | 2022年度 3Q実績 | 2023年度 3Q実績 | 前年同期比 | | 2023年度 | |
|------------|----------------|----------------|-------------|--------------|--------------|-------------|
| | | | 増減額 | % | 5/15予想 | % |
| 日本 | | | | | | |
| エクア・エクメット | 273 | 246 | △27 | △9.8 | 324 | 76.0 |
| トレリーフ | 131 | 131 | 0 | 0.2 | 150 | 87.4 |
| ラツータ | 73 | 90 | 17 | 24.1 | 125 | 72.0 |
| メトグルコ | 60 | 57 | △3 | △5.2 | 75 | 75.7 |
| ツイミーグ | 13 | 35 | 22 | 174.2 | 42 | 83.1 |
| ロナセンテープ | 22 | 29 | 7 | 31.3 | 33 | 89.0 |
| AG品 | 71 | 71 | 0 | 0.0 | 86 | 82.2 |
| トルリシティ * | 248 | — | △248 | — | — | — |
| その他 | 131 | 169 | 38 | 28.7 | | |
| 輸出、一時金収入等 | 106 | 51 | △55 | △52.2 | 306 | 76.0 |
| 関連事業 | 340 | 13 | △327 | △96.1 | | |
| 合計 | 1,467 | 892 | △575 | △39.2 | 1,141 | 78.1 |
| アジア | | | | | | |
| メロペン（中国） | 238 | 153 | △85 | △35.8 | 187 | 81.8 |
| その他 | 104 | 152 | 48 | 45.9 | 204 | 74.4 |
| 合計 | 342 | 305 | △37 | △10.9 | 391 | 78.0 |

日本

- 全体でほぼ想定通りの進捗
- ラツータ、ツイミーグ、ロナセンテープは引き続き伸長
- 前年同期の「輸出、一時金収入等」にはDSP-0187の導出一時金収入61億円を含む
- セグメント全体の薬価改定影響 △30億円

アジア

- メロペン（中国）は集中購買の影響で減収

2023年度3Q決算概要

セグメント別 経営成績 (コアベース)

金額単位：億円

| | | 日本 | 北米 | アジア | 合計 |
|----------------|------------|-----|-------|-----|-------|
| 2023年度 3Q実績 | 売上収益 | 892 | 1,154 | 305 | 2,350 |
| | 売上原価 | 421 | 434 | 77 | 932 |
| | 売上総利益 | 470 | 720 | 228 | 1,418 |
| | 販売費及び一般管理費 | 357 | 1,321 | 88 | 1,766 |
| | コアセグメント利益 | 113 | △601 | 140 | △348 |
| | 研究開発費 | | | | 680 |
| | コア営業利益 | | | | △964 |

| | | | | | |
|----------------|------------|-------|-------|-----|-------|
| 2022年度 3Q実績 | 売上収益 | 1,467 | 2,794 | 342 | 4,603 |
| | 売上原価 | 839 | 491 | 68 | 1,397 |
| | 売上総利益 | 628 | 2,302 | 275 | 3,205 |
| | 販売費及び一般管理費 | 431 | 1,746 | 98 | 2,275 |
| | コアセグメント利益 | 197 | 557 | 177 | 930 |
| | 研究開発費 | | | | 749 |
| | コア営業利益 | | | | 429 |

| | | | | | |
|-----|------------|------|--------|-----|--------|
| 増減額 | 売上収益 | △575 | △1,640 | △37 | △2,252 |
| | 販売費及び一般管理費 | △74 | △425 | △10 | △509 |
| | コアセグメント利益 | △84 | △1,158 | △37 | △1,278 |
| | 研究開発費 | | | | △69 |
| | コア営業利益 | | | | △1,393 |

日本セグメント

- 販売費及び一般管理費の減少はあるものの、減収による売上総利益の減少により、コアセグメント利益は減益

北米セグメント

- 販売費及び一般管理費の減少はあるものの、減収による売上総利益の減少の影響が大きく、コアセグメント利益は減益

アジアセグメント

- 減収による売上総利益の減少により、コアセグメント利益は減益

2023年度業績予想

2023年度業績予想

2023年度 業績予想 (コアベース)

金額単位：億円

| | 2023年度 5/15予想 | 2023年度 修正予想 | 従来予想比 | |
|------------------|------------------|----------------|-------|------|
| | | | 増減額 | 為替影響 |
| 売上収益 | 3,620 | 3,170 | △450 | 182 |
| 売上原価 | 1,320 | 1,250 | △70 | 80 |
| 売上総利益 | 2,300 | 1,920 | △380 | 102 |
| 販売費及び一般管理費 | 2,200 | 2,400 | 200 | 184 |
| 研究開発費 | 840 | 920 | 80 | 63 |
| その他の収益・費用（コア内） | 120 | 60 | △60 | |
| コア営業利益 | △620 | △1,340 | △720 | △145 |
| 非経常項目（△：損） | △160 | △220 | △60 | |
| 営業利益 | △780 | △1,560 | △780 | |
| 法人所得税 | △10 | 30 | 40 | |
| 当期利益 | △800 | △1,410 | △610 | |
| 親会社の所有者に帰属する当期利益 | △800 | △1,410 | △610 | |
| R O E | △21.9% | △38.8% | | |
| R O I C | △8.5% | △18.6% | | |

【為替レート】

2023年度従来予想：1\$ =130.00円 1元=19.50円
修正予想：1\$ =145.00円 1元=20.00円

- **売上収益**：450億円の減額修正
(うち為替影響+182億円)
為替影響を除く修正額
日本 (+17億円)
北米 (△644億円)
中国 (△5億円)
- **販管費**：為替影響+184億円
- **研究開発費**：為替影響+63億円
- **非経常項目**：北米グループ会社の再編等に伴う事業構造改善費用を上積み

※第4四半期に減損テストを実施するが、本予想には減損損失は織り込んでいない

2023年度業績予想

主要製品売上収益（北米）

| | 2023年度 5/15予想 | 2023年度 修正予想 | 増減額 | 2023年度 5/15予想 | 2023年度 修正予想 | 増減額 |
|-----------|------------------|----------------|------|------------------|----------------|------|
| 北米セグメント | 百万ドル | | | 億円 | | |
| オルゴビクス | 396 | 290 | △106 | 515 | 421 | △94 |
| マイフェンブリー | 192 | 70 | △122 | 249 | 101 | △148 |
| ジェムテサ | 362 | 260 | △102 | 470 | 377 | △93 |
| アプティオム | 273 | 236 | △37 | 355 | 342 | △13 |
| リサイミック | 54 | 48 | △6 | 70 | 70 | 0 |
| ラツータ | 161 | 47 | △114 | 209 | 69 | △140 |
| その他 | 167 | 162 | △5 | 220 | 231 | 11 |
| 輸出、一時金収入等 | | | | | | |
| 合計 | 1,605 | 1,113 | △492 | 2,088 | 1,611 | △477 |

【為替レート】

2023年度従来予想：1\$ =130.00円

修正予想：1\$ =145.00円

■ 基幹3製品は販売の進捗や、ペイヤーミックスの変化による価格低下を織り込み減額修正

■ ラツータはジェネリックの浸透が予想より早く、減額修正

オルゴビクスのマーケティング状況

| 2023年度3Q 従来計画 | 2023年度3Q 実績 | 2023年度3Q 従来計画達成率 | 2023年度3Q実績\$215Mに対する数量、価格の影響 | |
|------------------|----------------|---------------------|------------------------------|---------|
| \$265M | \$215M | 81% | 数量 | △約\$59M |
| | | | 価格 | 約\$9M |

- 2023年度3Qの売上収益は前年同期比 約68%増
- 主にシェア拡大が予想より遅れたため、2023年度3Q従来計画は未達

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

- オルゴビクスのフェーズ3試験（HERO試験）の併用群サブ解析結果などを含む併用データに関する論文の活用による併用療法の普及促進
- 患者さん/医療関係者/保険償還担当者などに対するメディケアパートDの薬剤給付制度変更の訴求
(2024年1月より高額医療費の自己負担撤廃・低所得者としての認定要件の緩和などのメディケアパートDの薬剤給付制度が変更された)
- オルゴビクスを治療選択肢として検討する医師と患者さんの対話をサポートするツール（オルゴビクス服用患者さんのビデオメッセージ、対話の手引きなど）の活用

■マイフェンブリーのマーケティング状況

| 2023年度3Q 従来計画 | 2023年度3Q 実績 | 2023年度3Q 従来計画達成率 | 2023年度3Q実績\$49Mに対する数量、価格の影響 | |
|------------------|----------------|---------------------|-----------------------------|---------|
| \$116M | \$49M | 43% | 数量 | △約\$58M |
| | | | 価格 | △約\$9M |

- 2023年度3Qの売上収益は前年同期比 約133%増。子宮筋腫/子宮内膜症 GnRH阻害剤 2023年12月 処方箋枚数 (TRx) シェア* 42%、新規処方箋枚数 (NBRx) シェア* 48% (2023年3月 30%、40%)
* : 出典 Symphony METYS - Data through Dec. 2023, IDV®
- 主に子宮筋腫および子宮内膜症におけるGnRH市場の拡大遅延、子宮内膜症におけるシェア拡大の遅れにより2023年度3Q従来計画は未達

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

- 子宮筋腫および子宮内膜症において、GnRH阻害剤を経口避妊薬無効例に対する最初の治療選択肢となるよう訴求内容の最適化
- SNSを含むDTCを活用した子宮筋腫および子宮内膜症の患者さんの認知度向上 (2024年3月：子宮内膜症啓発月間の活用)
- 子宮筋腫および子宮内膜症のマーケットアクセスの改善や治療成功のための適切な服用開始時期の周知の強化

ジェムテサのマーケティング状況

| 2023年度3Q 従来計画 | 2023年度3Q 実績 | 2023年度3Q 従来計画達成率 | 2023年度3Q実績\$174Mに対する数量、価格の影響 | |
|------------------|----------------|---------------------|------------------------------|---------|
| \$246M | \$174M | 71% | 数量 | △約\$25M |
| | | | 価格 | △約\$47M |

- 2023年度3Qの売上収益は前年同期比 約39%増。β3作動薬内 2023年12月 処方箋枚数 (TRx) シェア* 23%、新規処方箋枚数 (NBRx) シェア* 33% (2023年3月 16%、28%)

* Source IQVIA NPA

- 主にメディケアパートDの処方割合の増加に伴う価格の悪化により2023年度3Q従来計画は未達

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

- プライマリケア市場の強化に向けた営業チームおよび活動内容の最適化
- 高血圧を有する過活動膀胱の患者さんへの安全性などジェムテサの製品特性に関する医療関係者への情報提供活動の強化
- 患者さんが引き続き手頃な価格で服用できるマーケットアクセスを維持・改善するため、ペイヤーに対するジェムテサの情報提供の強化

2023年度業績予想

セグメント別 業績予想 (コアベース)

金額単位：億円

| | | 日本 | 北米 | アジア | 合計 |
|-----------------|------------|--------|-------|-----|--------|
| 修正 予想 | 2023年度 | | | | |
| | 売上収益 | 1,158 | 1,611 | 401 | 3,170 |
| | 売上原価 | 552 | 594 | 104 | 1,250 |
| | 売上総利益 | 606 | 1,017 | 297 | 1,920 |
| | 販売費及び一般管理費 | 474 | 1,806 | 120 | 2,400 |
| | コアセグメント利益 | 132 | △789 | 177 | △480 |
| | 研究開発費 | | | | 920 |
| | コア営業利益 | | | | △1,340 |
| 5月 15日 予想 | 2023年度 | | | | |
| | 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 |
| | コアセグメント利益 | 122 | △203 | 181 | 100 |
| | 研究開発費 | | | | 840 |
| | コア営業利益 | | | | △620 |
| 増 減 額 | 売上収益 | 17 | △477 | 10 | △450 |
| | 販売費及び一般管理費 | △3 | 203 | △0 | 200 |
| | コアセグメント利益 | 10 | △586 | △4 | △580 |
| | 研究開発費 | | | | 80 |
| | | コア営業利益 | | | |

日本セグメント

- 売上収益の増加を見込み増益

北米セグメント

- 売上収益の減額修正の影響が大きく減益

アジアセグメント

- 現地通貨ベース売上収益の減少の影響で減益

研究開発

研究開発

■ 主な開発品目一覧 (2024年1月31日現在)

□ : 精神神経領域 □ : がん領域 □ : その他領域

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

| 地域 | フェーズ1 | | フェーズ2 | フェーズ3 | 申請 |
|----|--|-------------------------------------|---------------------------------|--|----|
| 日本 | DSP-0187 (ナルコレプシー) | TP-3654 (骨髄線維症) | EPI-589 (ALS/医師主導治験) | ウロタロント (統合失調症) * | |
| | DSP-0378 (ドラベ症候群、 レノックス・ガストー症候群) | DSP-5336 (急性白血病) | 他家iPS細胞由来製品 (パーキンソン病/医師主導治験) | ウロタロント (全般不安症) * | |
| | | DSP-0390 (膠芽腫) | 他家iPS細胞由来製品 (網膜色素上皮裂孔) | | |
| | | KSP-1007 (複雑性尿路・腹腔内感染症、 院内肺炎) | | | |
| 米国 | SEP-378614 (未定) | TP-3654 (骨髄線維症) | EPI-589 (パーキンソン病/ALS) | ウロタロント (統合失調症) | |
| | SEP-380135 (未定) | DSP-5336 (急性白血病) | ウロタロント (パーキンソン病に伴う精神病症状) | ウロタロント (大うつ病補助療法) * | |
| | DSP-0038 (アルツハイマー病に伴う 精神病症状) | DSP-0390 (膠芽腫) | 他家iPS細胞由来製品 (パーキンソン病/医師主導治験) | ウロタロント (全般不安症) * | |
| | DSP-3456 (治療抵抗性うつ) | TP-1287 (固形がん) | | 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) | |
| | DSP-2342 (未定) | TP-1454 (固形がん) | | | |
| | | KSP-1007 (複雑性尿路・腹腔内感染症、 院内肺炎) | | | |
| 中国 | | SP-101 (嚢胞性線維症) | | ウロタロント (統合失調症) * | |
| | | | | ビベグロン (過活動膀胱) | |

*フェーズ2/3試験

臨床開発の進捗状況

■ 他家iPS細胞由来細胞医薬（ドパミン神経前駆細胞）

米国：パーキンソン病（フェーズ1/2試験）

➢ カリフォルニア大学サンディエゴ校が医師主導治験を開始

日本：パーキンソン病（フェーズ1/2試験）

➢ 京都大学による医師主導治験において、2023年末に2年間の観察期間が終了

➢ 2024年度中の承認・上市を目指す

■ ウロタロント

統合失調症の今後の開発方針については、引き続き大塚製薬と検討中

■ XENLETA® (lefamulin)

中国：市中肺炎 承認取得（2023年11月）

■ KSP-1007

日本：フェーズ1試験を開始

他家iPS細胞由来ドーパミン神経前駆細胞 米国医師主導治験開始

臨床試験の概要

| | |
|-------------------|-----------------------------------|
| 被験製品 | 他家iPS細胞由来ドーパミン神経前駆細胞 (CT1-DAP001) |
| 開発段階 | フェーズ1/2 |
| 対象患者 | パーキンソン病を有する患者 |
| 治験デザイン (目標症例数) | 単施設、非盲検、非対照 (7例) |
| 主要評価項目 | 安全性：有害事象の発現頻度と程度 |
| 副次評価項目 (有効性) | 運動症状評価 他 |

各者の役割等

- ✓ 治験実施医療機関：カリフォルニア大学サンディエゴ校 Sanford Stem Cell Institute CIRM Alpha Clinic
- ✓ 提供される細胞：他家iPS細胞由来ドーパミン神経前駆細胞
(QHJIドナー由来、京都大学iPS細胞研究財団がiPS細胞ストックプロジェクトで提供しているiPS細胞)
- ✓ 技術支援：京都大学医学部附属病院 (京大病院)、CiRAの高橋淳教授らの研究グループ
- ✓ 細胞製造：住友ファーマ (国内SMaRTにてドーパミン神経前駆細胞を製造し輸送)
- ✓ 治験費用の支援：住友ファーマ

■がん領域：TP-3654の概要

- ✓ 対象疾患：骨髄線維症
- ✓ 骨髄線維症におけるアンメット・メディカル・ニーズ：
 - 骨髄線維症はJAK-STATシグナルの制御異常によって引き起こされ、骨髄の線維化に伴う髄外造血、末梢血における赤芽球症を特徴とする、希少造血腫瘍の一種である
 - 脾腫や全身症状の悪化（倦怠感など）が症状として現れるため、脾腫の改善や全身症状の改善が重要な治療目標である
 - 標準治療として位置づけられているJAK阻害剤では貧血や血小板減少を引き起こすことが知られており、これらの有害事象が原因で投与中止に至ることが問題となっている。さらに骨髄線維症では貧血を有することや血小板数低値であることが予後不良因子である

血液学的有害事象が少なく、脾腫の改善や全身症状の改善が可能な新規治療法の開発が望まれている

- ✓ 起源：自社
- ✓ 薬理学的機序：PIM1（proviral integration site for Moloney murine leukemia virus 1）キナーゼ阻害

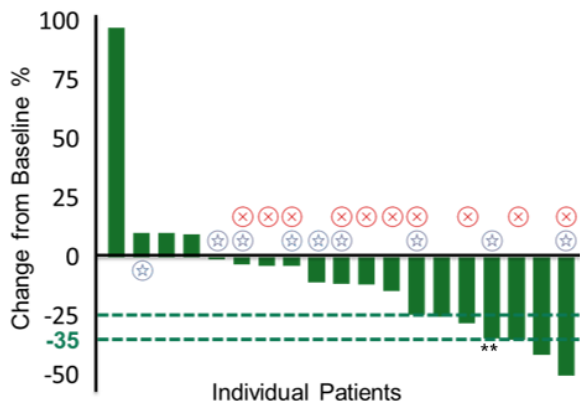
がん領域：TP-3654（骨髄線維症）のフェーズ1/2試験（中間結果）

- ✓ 低用量を含みかつ少数例のデータであるが、JAK阻害剤に効果を示さなかった患者や予後不良として知られているHb<10 g/dLおよび血小板 $100 \times 10^9/L$ 未満の患者においても、脾臓容積の縮小、全身症状スコアの改善が認められた
- ✓ これら有効性の指標は、既承認薬の検証的試験の主要評価項目に用いられている項目であり、臨床的意義のある良好なシグナルが得られている

有効性の指標

脾臓容積の縮小、最良効果 (N=20)

Best Change in Spleen Volume at Any Time (N=20)
SVR35: 20%; SVR25: 30%; SVR10: 55%

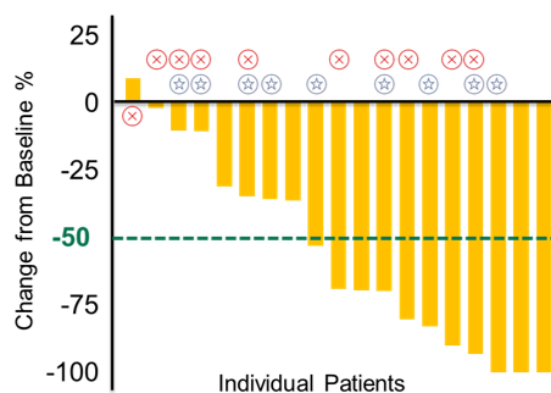


☆ = Baseline Platelet $<100 \times 10^9/L$ × = Baseline Hgb $<10 g/dL$

- 4/20例で脾臓容積が35%以上縮小**1例は34.4%
- 7/20例で25%以上の縮小
- 11/20例で10%以上の縮小

全身症状スコアの改善、最良効果 (N=20)

Best Change in Symptom at Any Time (N=20)
TSS50: 55% (11 of 20)

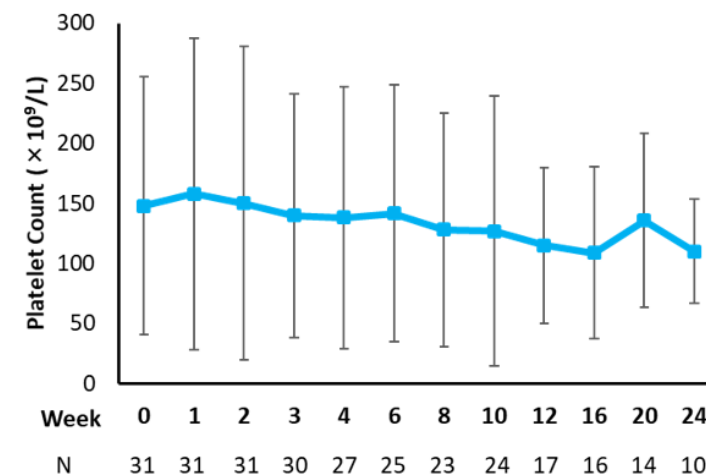


☆ = Baseline Platelet $<100 \times 10^9/L$ × = Baseline Hgb $<10 g/dL$

- 11/20例（55%）で全身症状スコアが50%以上改善

安全性の指標

血小板数の推移 (N=31, Mean±SD)



- 治療中も血小板数は安定
- 用量制限毒性 (DLT) は観察されず、忍容性は良好であった
- 最も認められた有害事象は、下痢、悪心および嘔吐

※参考：2023年9月に米国食品医薬品局（FDA）に承認されたMomelotinibの検証的試験（類似した対象集団: JAKi failure / PLT $\geq 25,000/\mu L$ / Hgb $<10 g/dL$ ）の有効性結果：35%以上の脾臓容積縮小が22%の患者、50%以上の全身症状スコアの改善が25%の患者で認められた (Srdan V et al., Lancet 2023; 401; 269-80)

■がん領域：TP-3654の開発状況・今後の予定

✓ 開発段階・進捗状況：

- 単剤フェーズ1/2（日米豪伊英）を実施中
- カナダ当局から治験実施が許可され、治験実施地域を拡大中
- 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領

✓ 今後の予定：

- JAK阻害剤との併用試験開始を検討し、2027年度内に骨髄線維症を対象とした検証的試験結果の取得を目指す

■がん領域：DSP-5336の概要

- ✓ 対象疾患：急性白血病（急性骨髄性白血病など）
- ✓ 急性骨髄性白血病におけるアンメット・メディカル・ニーズ：
 - 急性骨髄性白血病（AML）は血液のがんである。骨髄内の造血細胞の遺伝子変異により発症し、白血病細胞が異常増殖することで正常造血機能が阻害される致死性の疾患である
 - AMLは白血病細胞の形態学的異常と遺伝子変異により分類され、遺伝子変異に基づく予後・治療法が確立されつつある
 - DSP-5336の治療対象となるMLL遺伝子転座を伴うAMLまたはNPM1遺伝子変異を伴うAMLに対する標的治療法は確立されておらず、新規治療法の開発が望まれている

MLL遺伝子転座を伴う急性骨髄性白血病 （MLL再構成AML）

- AML患者の約5~10%
- 大半が予後不良群に分類され、極めて予後不良（5年生存率：~30%）

NPM1遺伝子変異を伴う急性骨髄性白血病 （NPM1変異AML）

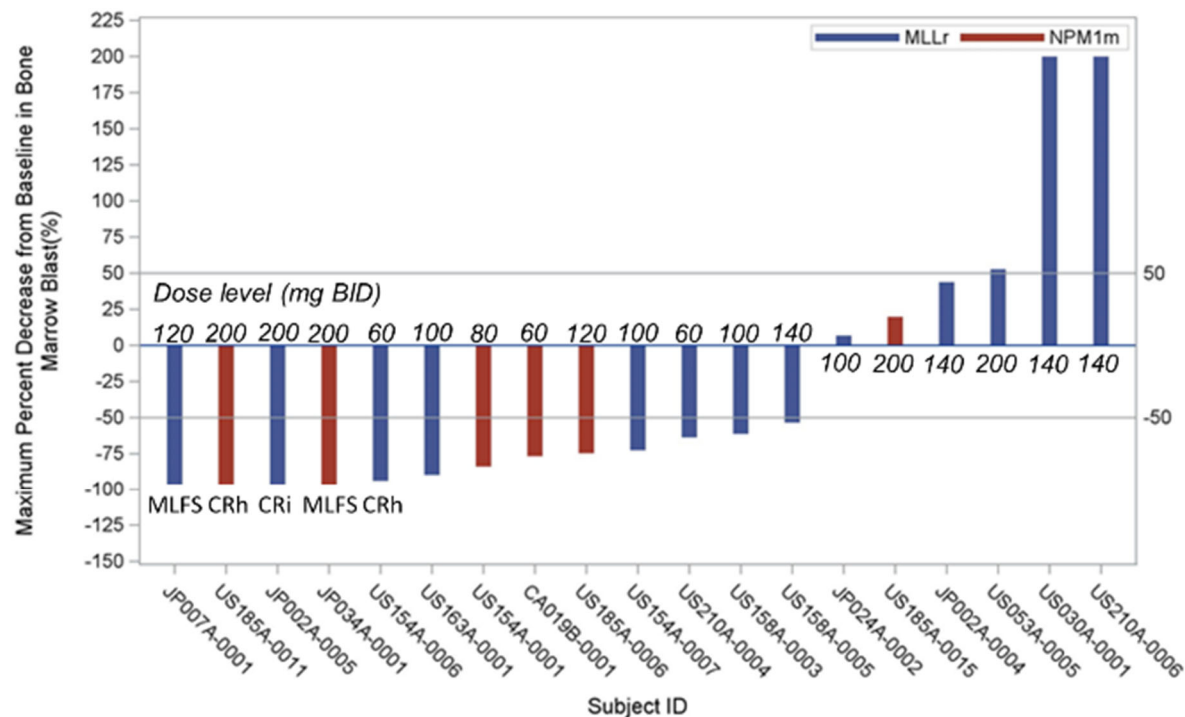
- AML患者の約30%
- 予後良好または中間群に分類され、併発遺伝子変異に依存するものの、骨髄移植なしでの根治は難しい

- ✓ 起源：自社（京都大学との共同研究）
 - MLL再構成AMLにおけるMENINの必要性を世界に先駆け発見された横山明彦先生（当時京都大学）等との共同研究「DSKプロジェクト」によりスタート
 - AMED産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M）に採択（2020-2023）、トランスレーショナル研究により治験開始の促進・AML対象セグメントの拡大・適応がん種拡大を国立がんセンターと協業
- 薬理的機序：メニタンパク質とMLL（mixed-lineage leukemia）タンパク質との結合を阻害

がん領域：DSP-5336（急性白血病）のフェーズ1/2試験（中間結果）

骨髄芽球（%）の変化

全ての用量レベルにおけるMLLrまたはNPM1m陽性患者対象



CRh：部分的血液学的回復を伴う完全寛解
 CRi：血球数回復が不完全な完全寛解
 MLFS：形態学的無白血病状態

安全性（評価対象：43例）

- ✓ 用量制限毒性（DLT）は観察されず、忍容性は良好であった
- ✓ 最も認められた有害事象は、悪心、嘔吐および疲労であった
- ✓ DSP-5336と関連があるQTc延長やその他の心毒性は認められていない
- ✓ DSP-5336の標的変異（MLLrまたはNPM1m）陽性患者の中で分化症候群は認められていない

有効性（評価対象：19例（DSP-5336標的変異（MLLrまたはNPM1m）を持つ患者））

- ✓ DSP-5336の標的変異（MLLrまたはNPM1m）を持つ多くの有効性評価可能な患者において、顕著な骨髄芽球の低下が認められた

■がん領域：DSP-5336の開発状況・今後の予定

✓ 開発段階・進捗状況：

- 単剤フェーズ1/2（日米加、韓国、台湾、シンガポール）を実施中
- EU当局から治験実施が許可され、治験実施地域を拡大中
- 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領

✓ 今後の予定：

- 治療困難な再発難治の急性骨髄性白血病での治療選択肢は非常に限られており、対照薬を置かない単群フェーズ2パートでの承認取得を目指す
- 当局との協議後に、2024年度上期にフェーズ2パートを開始予定
- 急性骨髄性白血病を適応症として、2026年度内に日本および米国での承認取得を目指す

参考資料

<目次>

| | | |
|------|------------|---------------------|
| P.26 | 2023年度3Q | 経営成績（フルベース） |
| P.27 | 2023年度業績予想 | 主要製品売上収益（日本・アジア） |
| P.28 | 研究開発 | 2023年度の主なイベント／目標 |
| P.29 | 研究開発 | 製品上市目標 |
| P.30 | 研究開発 | 再生・細胞医薬事業 上市・開発品目一覧 |
| P.31 | 研究開発 | 製品上市目標（フロンティア事業） |
| P.32 | 研究開発 | がん領域：TP-3654の作用機序 |
| P.33 | 研究開発 | がん領域：DSP-5336の作用機序 |

参考資料（2023年度3Q決算概要）

2023年度3Q 経営成績（フルベース）

金額単位：億円

| | 2022年度 3Q実績 | 2023年度 3Q実績 | 前年同期比 | |
|-----------------------|----------------|----------------|--------|-------|
| | | | 増減額 | % |
| 売上収益 | 4,603 | 2,350 | △2,252 | △48.9 |
| 売上原価 | 1,398 | 932 | △466 | △33.3 |
| 売上総利益 | 3,205 | 1,418 | △1,787 | △55.7 |
| 販売費及び一般管理費 | 2,895 | 1,916 | △979 | △33.8 |
| 研究開発費 | 760 | 736 | △23 | △3.1 |
| その他の収益・費用 | 272 | 56 | △216 | |
| 営業利益 | △178 | △1,177 | △1,000 | — |
| 金融収益・費用 | 200 | 126 | △74 | |
| 税引前四半期利益 | 22 | △1,052 | △1,074 | — |
| 法人所得税 | 348 | 125 | △223 | |
| 四半期利益 | △326 | △1,177 | △851 | — |
| 親会社の所有者に 帰属する四半期利益 | △185 | △1,177 | △992 | — |

参考資料（2023年度業績予想）

主要製品売上収益（日本・アジア）

金額単位：億円

| | 2023年度 5/15予想 | 2023年度 修正予想 | 増減額 |
|------------|------------------|----------------|-----|
| 日本 | | | |
| エクア・エクメット | 324 | 311 | △13 |
| トレリーフ | 150 | 155 | 5 |
| ラツーダ | 125 | 120 | △5 |
| メトグルコ | 75 | 75 | — |
| ツイミーグ | 42 | 42 | — |
| ロナセンテープ | 33 | 38 | 5 |
| AG品 | 86 | 94 | 8 |
| その他 | | | |
| 輸出、一時金収入等 | 306 | 323 | 17 |
| 関連事業 | | | |
| 合計 | 1,141 | 1,158 | 17 |
| アジア | | | |
| メロペン（中国） | 187 | 205 | 18 |
| その他 | 204 | 196 | △8 |
| 合計 | 391 | 401 | 10 |

日本

- エクア・エクメットは市場環境が厳しく減額修正

アジア

- メロペン（中国）は現地通貨ベースでもやや予想を上回る
- その他の減少は中国でのラツーダの減少が大きい

2023年度の主なイベント／目標（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

精神神経

- ウロタロント： 統合失調症の2つのフェーズ3試験の結果判明（ DIAMOND 1試験 DIAMOND 2試験）
 - 統合失調症を適応症とした米国での承認申請
 - 統合失調症対象の日本・中国でのフェーズ2/3試験の推進
 - 2つの追加適応症（aMDD、GAD）のフェーズ2/3試験の推進
- ~~SEP-4199：双極Ⅰ型障害うつ病のフェーズ3試験の推進~~
- 他家iPS細胞由来製品（網膜色素上皮裂孔）：日本での企業治験開始
- 他家iPS細胞由来製品（パーキンソン病）：米国での治験開始
- 米国での細胞製品製造施設の竣工（リサイミックおよび他家iPS細胞由来細胞製品対象）

がん

- 初期開発品の開発推進

その他

- レルゴリクス：欧州における子宮内膜症の承認取得
- ビベグロン：前立腺肥大症を伴う過活動膀胱（OAB）のフェーズ3試験の結果判明と米国での適応追加申請
- rodatristat ethyl：肺動脈性肺高血圧症（PAH）のフェーズ2試験の結果判明
- ユニバーサルインフルエンザワクチン、マラリアワクチン：共同研究開発プロジェクトの推進

フロンティア












- ~~製品上市：（日本）自動採血・保存デバイス~~
- 既存テーマ推進、上市製品の価値最大化を目的としたエビデンス構築

参考資料（研究開発）

製品上市目標（2024年1月31日現在）

■ 精神神経領域 ■ がん領域 ■ その他領域

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

| | 2023年度 | 2024年度 | 2025年度 | 2026年度 | 2027年度 | |
|---------------------------------------|--------|---|---|--|---|-----------|
| ウロタロント (TAAR1作動薬) | | 統合失調症*1  | | | 統合失調症*1  | 適応拡大 |
| 他家iPS細胞由来 ドパミン神経前駆細胞 (DSP-1083) | | パーキンソン病*2  | | | | 米国開発 |
| 他家iPS細胞由来 網膜色素上皮細胞 (HLCR011) | | | 網膜色素上皮裂孔*3  | | | 適応拡大 |
| DSP-5336 (メニン-MLL結合阻害剤) | | | | 急性骨髄性白血病   | | 適応拡大 |
| TP-3654 (PIM1キナーゼ阻害剤) | | | | | 骨髄線維症   | 販売国 拡大 |
| ジェムテサ (β3アドレナリン受容体作動薬) | | 前立腺肥大症を伴う 過活動膀胱  | | | 過活動膀胱  | |
| lefamulin (プレウロムチリン系抗菌薬) | | 市中肺炎*4  | | | | |

*1 今後の統合失調症の開発方針を踏まえて上市目標時期を見直す予定

*3 治験の状況を踏まえて上市目標時期の見直しを検討中









*2 連携先との合意でない当社の目標

*4 上市目標時期を見直し中

参考資料（研究開発）

再生・細胞医薬事業 上市・開発品目一覧（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

| 販売名/細胞種 開発コード | 適応疾患 | JP/ US | Pre-clinical | 臨床研究 | Phase 1/2 | Phase 3 | 承認申請 | 承認→販売 |
|--|----------|-----------|---|---|--|---------|------|---|
| リサイミック | 先天性無胸腺症 | US | | | | | |  |
| ドパミン神経前駆細胞 (他家iPS細胞由来) DSP-1083 | パーキンソン病 | JP US | | |   | | | 上市目標* (2024年度) |
| 網膜色素上皮細胞 (他家iPS細胞由来) HLCR011 | 網膜色素上皮裂孔 | JP | | |  | | | |
| 網膜シート(立体組織) (他家iPS細胞由来) DSP-3077 | 網膜色素変性 | JP US |  |  | | | | |
| 神経前駆細胞 (他家iPS細胞由来) | 脊髄損傷 | JP US | |  | | | | |
| ネフロン前駆細胞 (立体臓器) (自家/他家iPS細胞由来) | 腎不全 | JP/ US |  | | | | | |







1. 京都大学医学部附属病院 2. 神戸アイセンター病院 3. 慶應義塾大学病院 4. カリフォルニア大学サンディエゴ校

* 条件及び期限付承認を前提

参考資料（研究開発）

製品上市目標（フロンティア事業）（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

| | 2023年度 | 2024年度 | 2025年度 | 2026年度 | 2027年度 |
|--------------------------------------|--------|--|--|---|---|
| VRコンテンツ (BehaVR社) | | | | 社交不安障害  | その他適応での VRコンテンツ |
| MELTz® (株)メルティンMMI) | | | 「MELTz® Portable」 (手指運動トレーニングシステム)  | | |
| ウェアラブル 脳波計 (株)ニューロスカイ) | | うつ  | | | うつ  |
| バイオレットライト (株)坪田ラボ) | | | うつ・認知症  | | うつ・認知症  |

自動採血・保存デバイスは、Drawbridge Health社と事業に関する契約が締結できなかったため削除しました

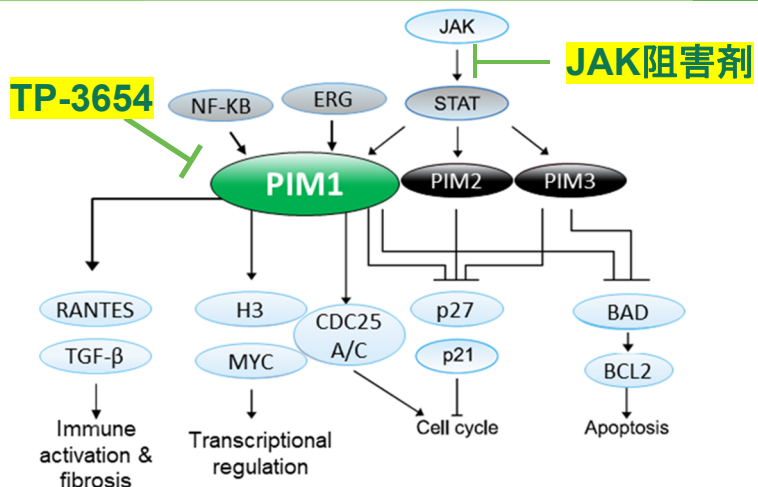
承認機器としてのMELTz®の手指運動リハビリテーションシステム（日本、2027年度）は、2028年度以降の上市を見込むため削除しました

参考資料（研究開発）

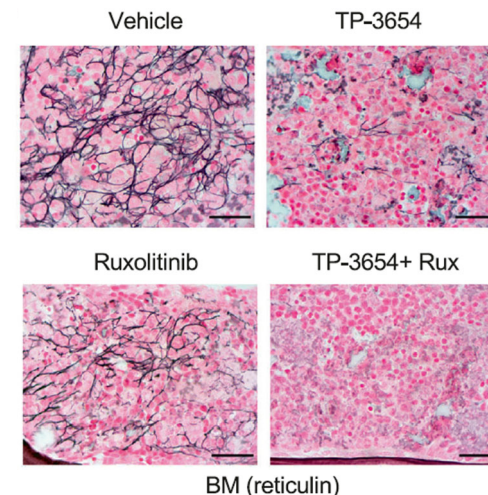
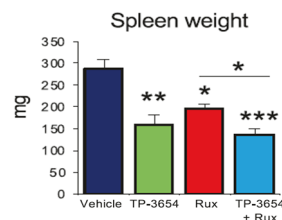
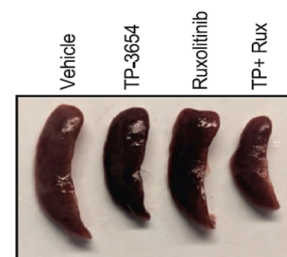
がん領域：TP-3654の作用機序

- PIM1（proviral integration site for Moloney murine leukemia virus 1）キナーゼ阻害剤
- PIM1キナーゼは、血液がんを含む種々のがんにおいて過剰発現し、アポトーシス回避、腫瘍性増殖の促進などに関与することから、PIM1キナーゼ阻害によるがん細胞の増殖に対する抑制効果が期待される。さらに非臨床試験でPIM1が骨髄線維症の進行に大きく関与していることが示唆されている
- 非臨床試験では、本剤投与により脾腫・骨髄線維化・生存期間の改善が確認されている
- JAK2経路の下流シグナル伝達因子であるPIM1キナーゼを選択的に阻害することで、JAK阻害剤で認められる血液毒性を回避しつつ薬理効果を発揮することが期待される。非臨床試験で血小板減少など血液毒性の懸念が小さいことが示唆されている

薬剤コンセプト：PIM1キナーゼ阻害剤



TP-3654による脾腫（左）および骨髄線維化（右）の改善（非臨床）



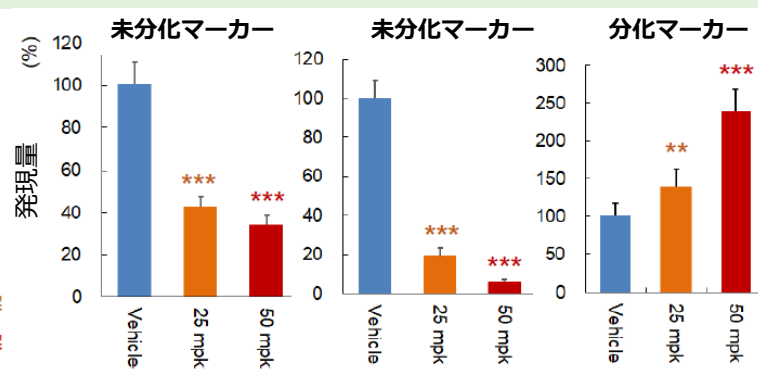
がん領域：DSP-5336の作用機序

- 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
- MLL転座やNPM1遺伝子変異を有する急性白血病の発症・維持には、メニンタンパク質とMLLタンパク質相互作用が必須である
- メニンタンパク質とMLLタンパク質の結合を阻害することにより、本タンパク質間相互作用に起因する白血病関連遺伝子の発現を抑制し、正常血液細胞への分化を促進することで強い抗腫瘍作用を示すことが期待される
- 非臨床データにおいて強い薬理効果と毒性面（特にQTc延長）のマージン幅を確保している

MLL再構成陽性AML異種移植モデル



薬学的マーカーの変化



DSP-5336の作用メカニズム

