

## 2021年度(2022年3月期)決算(IFRS)補足資料

## —目次—

I.	連結業績ハイライト	1
II.	連結損益計算書	3
III.	セグメント情報	4
IV.	売上の状況	5
V.	連結財政状態計算書	7
VI.	四半期業績の推移	8
VII.	主要な連結子会社の状況	8
VIII.	株式の状況	9
IX.	開発状況表	10
X.	主な開発品のプロフィール	12
XI.	フロンティア事業の主なプログラムの開発状況	17

2022年5月13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。
- 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。「オルゴビクス」(レルゴリクス)、「マイフェンブリー」/「ライエクオ」(レルゴリクス配合剤)はマイオバント社の製品です。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

(億円)

1. 連結損益計算書(コアベース)	2020年度 実績	2021年度 実績	増減率%	2022年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	5,160	5,600	8.5	5,500	△ 1.8
売上原価 *1	1,375	1,571	14.3	1,645	4.7
売上総利益	3,785	4,029	6.5	3,855	△ 4.3
販売費及び一般管理費 *1	2,118	2,516	18.8	2,835	12.7
研究開発費 *1	971	940	△3.2	930	△ 1.1
その他の収益・費用 *2	△0	12		210	
<b>コア営業利益</b>	696	585	△15.9	300	△ 48.7
条件付対価公正価値の変動額(△:損)	225	33		△5	
その他の非経常項目(△:損) *3	△208	△16		△55	
<b>営業利益</b>	712	602	△15.4	240	△ 60.2
<b>当期利益</b>	368	406	10.2	非開示	
親会社の所有者に帰属する 当期利益	562	564	0.3	220	△ 61.0
基本的1株当たり当期利益(円)	141.50	141.99		55.37	
親会社所有者帰属持分 当期利益率(ROE)	10.1%	9.5%		3.6%	
投下資本利益率(ROIC)	3.1%	1.7%		0.7%	
連結配当性向	19.8%	19.7%		50.6%	

(億円)

2. 連結損益計算書(フルベース)	2020年度 実績	2021年度 実績	増減率%
売上収益	5,160	5,600	8.5
売上原価	1,378	1,571	14.0
売上総利益	3,782	4,029	6.5
販売費及び一般管理費	1,904	2,491	30.8
研究開発費	1,327	949	△ 28.5
その他の収益・費用	161	13	
<b>営業利益</b>	712	602	△ 15.4
金融収益・費用	66	227	
<b>税引前利益</b>	779	830	6.6
法人所得税	410	424	
<b>当期利益</b>	368	406	10.2
親会社の所有者に帰属する当期利益	562	564	0.3

\*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 実績	2021年度 実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	1,356	312	
投資活動によるキャッシュ・フロー	89	△ 183	
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 572	△ 214	
現金及び現金同等物の期末残高	1,937	2,030	

4. 為替換算レート	2020年度		2021年度		2022年度 想定レート	為替感応度(2022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	110.7	106.1	122.4	112.4	125.0	28	△ 3
円/元	16.9	15.7	19.3	17.5	19.5	14	5

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	2020年度 実績	2021年度 実績	増減額	2022年度 予想	前期比 増減額	(億円)
設備投資額	127	<b>126</b>	△ 0	159	33	
有形固定資産償却費	106	<b>115</b>	8	107	△ 8	
無形資産償却費	120	<b>269</b>	149	293	24	
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	96	<b>242</b>	146	262	20	

(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年度完了した主な設備投資

再生・細胞医薬製造施設新設(大阪)、総投資額11億円

2022年度の主な設備投資計画

(継続中) 生産設備増強、総投資額11億円、2022年度完了予定

東京本社移転、総投資額16億円、2022年度完了予定

(新規) 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)

	2020年度 実績	2021年度 実績	増減額	増減率%		増減	うち為替
売上収益	5,160	<b>5,600</b>	441	8.5	←	日本	△ 26
海外売上	3,273	<b>3,708</b>	435	13.3		北米	383 +179
海外売上比率	63.4%	<b>66.2%</b>				中国	105 +40
						海外その他	△ 51
売上原価	1,375	<b>1,571</b>	196	14.3			
売上原価率	26.6%	<b>28.1%</b>					
売上総利益	3,785	<b>4,029</b>	245	6.5			
販売費及び一般管理費	2,118	<b>2,516</b>	398	18.8	←	うちスミトバント	+438
人件費	1,001	<b>1,132</b>	131	13.1			
広告宣伝費	196	<b>161</b>	△ 34	△ 17.6			
販売促進費	178	<b>217</b>	39	21.7			
減価償却費	167	<b>315</b>	148	88.8			
その他	576	<b>690</b>	114	19.8			
研究開発費	971	<b>940</b>	△ 31	△ 3.2			
研究開発費売上収益比率	18.8%	<b>16.8%</b>					
その他の収益・費用	△ 0	<b>12</b>	12				
コア営業利益	696	<b>585</b>	△ 111	△ 15.9			
条件付対価公正価値の変動額 (△:損)	225	<b>33</b>	△ 192				
その他の非経常項目 (△:損)	△ 208	<b>△ 16</b>	193				
営業利益	712	<b>602</b>	△ 110	△ 15.4	←		
金融収益	92	<b>258</b>	166				
金融費用	26	<b>31</b>	5				
税引前利益	779	<b>830</b>	51	6.6			
法人所得税	410	<b>424</b>	13				
当期利益	368	<b>406</b>	38	10.2			
親会社の所有者に帰属する 当期利益	562	<b>564</b>	2	0.3			

条件付対価変動額(△:損)	FY20	FY21
旧ホスト・ハイメディカル関連	* 170	—
旧トロ関連	* 55	* 33

\* 事業計画見直し等による公正価値の減少(費用戻入)

前期: 固定資産売却益および仕掛研究開発の減損発生

## 2. コア営業利益への調整項目

(億円)

2021年度実績	フルベース	コアベース	調整額	主な調整項目
売上収益	5,600	<b>5,600</b>	-	
売上原価	1,571	<b>1,571</b>	△ 0	
売上総利益	4,029	<b>4,029</b>	0	
販売費及び一般管理費	2,491	<b>2,516</b>	25	・条件付対価公正価値の変動額 +33
研究開発費	949	<b>940</b>	△ 9	
その他の収益	24	<b>12</b>	△ 13	
その他の費用	11	-	△ 11	
営業利益	602	<b>585</b>	△ 17	

## Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2021年度実績	医薬品事業					その他	連結
	日本	北米	中国	海外 その他	合計		
売上収益(外部顧客向け)	1,499	3,198	383	122	5,202	399	5,600
売上原価	787	336	74	66	1,263	308	1,571
売上総利益	713	2,862	309	55	3,939	90	4,029
販売費及び一般管理費	517	1,808	113	23	2,461	55	2,516
<b>コアセグメント利益</b>	<b>196</b>	<b>1,054</b>	<b>196</b>	<b>33</b>	<b>1,478</b>	<b>35</b>	<b>1,514</b>
研究開発費 *1					932	8	940
その他の収益・費用(コア内)*2					11	0	12
<b>コア営業利益</b>					<b>558</b>	<b>27</b>	<b>585</b>

(億円)

2022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)	1,300	3,343	276	161	5,080	420	5,500
売上原価	676	536	56	52	1,320	325	1,645
売上総利益	624	2,807	220	109	3,760	95	3,855
販売費及び一般管理費	530	2,110	116	16	2,772	63	2,835
<b>コアセグメント利益</b>	<b>94</b>	<b>697</b>	<b>104</b>	<b>93</b>	<b>988</b>	<b>32</b>	<b>1,020</b>
研究開発費 *1					905	25	930
その他の収益・費用(コア内)*2					210	-	210
<b>コア営業利益</b>					<b>293</b>	<b>7</b>	<b>300</b>

(億円)

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

\*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 実績	2021年度 実績	増減額	増減率%	2022年度 予想
日本	1,525	1,499	△ 26	△ 1.7	1,300
北米	2,815	3,198	383	13.6	3,343
中国	278	383	105	37.6	276
海外その他	172	122	△ 51	△ 29.3	161

## 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 実績	2021年度 実績	増減額	増減率%	2022年度 予想
<b>日本</b>					
<b>プロモーション品</b>					
エクア・エクメット [2型糖尿病治療剤]'19.11～	401	375	△ 26	△ 6.5	349
トルリシティ * [2型糖尿病治療剤]	339	336	△ 3	△ 0.8	310
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	162	164	2	1.1	173
リプレガル [ファブリー病治療剤]	138	124	△ 14	△ 10.4	-
メトグルコ [2型糖尿病治療剤]	91	81	△ 10	△ 10.9	78
ラソーダ [非定型抗精神病薬]'20.6～	24	69	45	188.1	99
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬]'19.9～	13	21	8	61.6	27
<b>その他品目</b>					
アムロジン [高血圧症・狭心症治療薬]	65	57	△ 9	△ 13.5	34
オーソライズドジェネリック品	80	97	17	20.8	97

\* 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 実績	2021年度 実績	増減額	増減率%	2022年度 予想
<b>北米</b>					
ラゾーダ [非定型抗精神病薬]	2,065	<b>2,041</b>	△ 23	△ 1.1	2,158
アプティオム [抗てんかん剤]	257	<b>271</b>	14	5.4	318
プロバナ [COPD治療剤]	294	<b>145</b>	△ 150	△ 50.8	32
キンモビ [パーキンソン病に伴うオフ症状治療剤] '20.9~	2	<b>6</b>	4	204.0	23
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤] '21.1~	4	<b>93</b>	89	2,321.5	非開示
マイフェンブリー/ライエクオ [子宮筋腫治療剤] '21.6~	—	<b>13</b>	13	—	非開示
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤] '21.4~	—	<b>71</b>	71	—	非開示
<b>中国</b>					
メロペン [カルバペネム系抗生物質製剤]	225	<b>299</b>	74	33.0	168
<b>海外その他</b>					
メロペン [カルバペネム系抗生物質製剤]	64	<b>72</b>	8	11.8	61

## (参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2020年度 実績	2021年度 実績	増減額	増減率%	2022年度 予想
ラゾーダ	1,946	<b>1,816</b>	△ 130	△ 6.7	1,726
アプティオム	242	<b>241</b>	△ 1	△ 0.5	255
プロバナ	278	<b>129</b>	△ 149	△ 53.6	26
キンモビ	2	<b>5</b>	4	187.0	18
オルゴビクス	4	<b>83</b>	79	2,186.0	非開示
マイフェンブリー/ライエクオ	—	<b>11</b>	11	—	非開示
ジェムテサ	—	<b>63</b>	63	—	非開示

## V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2021年 3月末	2022年 3月末	対前年度末 増減額
<b>資産</b>	<b>13,081</b>	<b>13,080</b>	<b>△ 1</b>
(非流動資産)	<b>8,483</b>	<b>8,085</b>	<b>△ 398</b>
有形固定資産	650	641	△ 9
のれん	1,765	1,951	187
無形資産	3,834	3,987	153
特許権・販売権	2,107	3,616	1,509
仕掛研究開発	1,659	298	△ 1,361
その他	68	73	5
その他の金融資産	1,930	1,158	△ 772
その他の非流動資産	102	121	18
繰延税金資産	202	227	25
(流動資産)	<b>4,598</b>	<b>4,995</b>	<b>397</b>
棚卸資産	922	990	68
営業債権及びその他の債権	1,359	1,514	155
その他の金融資産	295	356	61
その他の流動資産	85	105	20
現金及び現金同等物	1,937	2,030	93
<b>負債</b>	<b>6,599</b>	<b>6,344</b>	<b>△ 255</b>
(非流動負債)	<b>3,818</b>	<b>3,561</b>	<b>△ 257</b>
社債及び借入金	2,639	2,440	△ 199
その他の金融負債	214	165	△ 49
退職給付に係る負債	151	115	△ 36
その他の非流動負債	530	576	46
繰延税金負債	284	266	△ 19
(流動負債)	<b>2,781</b>	<b>2,784</b>	<b>2</b>
借入金	100	251	151
営業債務及びその他の債務	646	462	△ 185
その他の金融負債	233	133	△ 100
未払法人所得税	245	76	△ 169
引当金	999	1,191	193
その他の流動負債	558	671	112
<b>資本</b>	<b>6,482</b>	<b>6,736</b>	<b>254</b>
資本金	224	224	—
資本剰余金	159	167	9
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	5,087	5,142	55
その他の資本の構成要素	343	552	209
親会社の所有者に帰属する持分	<b>5,806</b>	<b>6,079</b>	<b>273</b>
非支配持分	<b>676</b>	<b>657</b>	<b>△ 19</b>

のれん内訳	21/3	22/3
オンコロジー(SMPO)以外	1,523	1,683
オンコロジー(SMPO)関連	242	268

主な特許権	21/3	22/3
キンモビ(アホ <sup>®</sup> モルヒネ)	513	515
オルコ <sup>®</sup> ピクス(レルコ <sup>®</sup> リクス)	623	647
マイフェンブ <sup>®</sup> リー(レルコ <sup>®</sup> リクス)	—	*1,396
ジ <sup>®</sup> ェムテサ(ビ <sup>®</sup> ヘ <sup>®</sup> グロン)	913	939

\*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	22/3
旧トレロ品目	177	186
レルコ <sup>®</sup> リクス	1,332	*—

\*特許権への振替による減少

有価証券の評価変動による減少

社債・借入金合計  
2,738 → 2,690

条件付対価公正価値残高	21/3	22/3	今後の支払 総額(最大)
旧トレロ関連	83	44	\$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

(億円)

コアベース	2020年度				2021年度			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
売上収益	1,339	1,276	1,333	1,212	1,312	1,625	1,383	1,280
売上原価	360	347	341	327	385	384	410	393
売上総利益	979	929	992	885	927	1,242	974	887
販売費及び一般管理費	478	458	521	660	620	625	642	629
研究開発費	257	235	225	254	224	233	221	262
その他の収益・費用(コア内)	△ 0	△ 0	0	△ 0	2	10	△ 0	0
コア営業利益	244	236	246	△ 30	85	394	110	△ 4
条件付対価に係る 公正価値の変動額(△:損)	△ 12	13	△ 4	228	△ 1	△ 1	△ 1	35
その他の非経常項目(△:損)	1	△ 6	159	△ 362	△ 1	△ 1	△ 3	△ 11
営業利益	233	243	400	△ 163	83	393	107	20
四半期利益	156	148	276	△ 211	8	292	52	54
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	183	190	330	△ 140	48	316	99	101

## VII. 主要な連結子会社の状況(2022年4月1日現在)

国内	設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
住友ファーマフード&ケミカル株式会社	1947/10	100%	202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
住友ファーマアニマルヘルス株式会社	2010/7	100%	96名	動物用医薬品等の製造、販売
住友ファーマプロモ株式会社	1998/6	100%	34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
スミモファーマ・アメリカ・ホールディングス・インク	2009/7	100%	168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%	*1,199名	医療用医薬品の製造、販売
スミモファーマ・オンコロジー・インク	2006/11	100%	191名	がん領域の研究開発
スミバント・バイオファーマ・インク	2019/10	100%	106名	スミ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%	*569名	医療用医薬品(婦人科、前立腺がん)の製造、販売
ユーロバント・サイエンシズ・リミテッド	2016/1	100%	*309名	医療用医薬品(泌尿器科疾患)の製造、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%	*32名	医療用医薬品(小児希少疾患)の製造、販売
アルタバント・サイエンシズ・リミテッド	2017/9	100%	*25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・インク	2019/2	100%	*37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%	758名	医療用医薬品の製造、販売

(注)従業員数は2022年3月31日時点の人数を記載しています。

\*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		2022/3/31	
連結/個別	6,457	3,023	6,822	3,067	6,987	3,040
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	1,110	1,220
米国 マネージャー除く/総数	650	740	720	840	820	950
中国 マネージャー除く/総数	330	400	340	410	340	420

## Ⅷ. 株式の状況(2022年3月31日現在)

1. 発行可能株式総数 1,500,000,000株
2. 発行済株式の総数 397,900,154株 (自己株式607,238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	34	88,019	22.12
金融商品取引業者	53	5,979	1.50
その他の法人	305	227,237	57.11
外国法人等	676	51,005	12.82
個人・その他(自己株式を含む)	29,189	25,657	6.45
合計	30,257	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)	40,506	10.20
稲畑産業株式会社	13,782	3.47
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	11,906	3.00
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
ステート ストリート バンク ウェスト クライアント トリーティー 505234	2,937	0.74
大日本住友製薬従業員持株会	2,907	0.73
株式会社日本カストディ銀行(証券投資信託口)	2,695	0.68

(注1) 持株比率は、自己株式(607,238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. 開発状況表(2022年5月13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
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)
	パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 2
SEP-4199	双極 I 型障害うつ	米国・日本	フェーズ 3(国際共同試験)
ラツーダ (ルラシドン塩酸塩)	(新効能)双極 I 型障害うつ	中国	フェーズ 3
	(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)
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	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

## 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
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)	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・日本	フェーズ 1/2
DSP-5336	血液がん	米国・日本	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・日本	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
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)
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)
メトグルコ (メトホルミン塩酸塩)	(新効能)多嚢胞性卵巣症候群の排卵誘発および生殖補助医療における調節卵巣刺激	日本	申請(2022/3)
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
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
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 2022 年 1 月決算発表時点からの主な変更点】

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階	変更内容
レルゴリクス	前立腺がん	欧州	承認(2022/4)	承認取得のため表から削除
メトグルコ (メトホルミン塩酸塩)	(新効能)多嚢胞性卵巣症候群の排卵誘発および生殖補助医療における調節卵巣刺激	日本	申請(2022/3)	申請
DSP-3456	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1	新規掲載
DSP-0509 (guretolimod)	固形がん	米国・日本	フェーズ 1/2	日本を追加
TP-0184 (itacosertib)	骨髄異形成症候群に伴う貧血	米国	フェーズ 1/2	開発中止のため表から削除

## X. 主な開発品のプロフィール(2022 年 5 月 13 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<sub>1A</sub> アゴニスト活性を持つ TAAR1 (微量アミン関連受容体 1) アゴニストであり、ドパミン D<sub>2</sub> またはセロトニン 5-HT<sub>2A</sub> 受容体には結合しない。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で本剤を見出した。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: (大塚製薬㈱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)  
パーキンソン病に伴う精神病症状: フェーズ 2 (米国)

- SEP-4199** 起源: 自社 (Sunovion 社)、剤形: 経口剤
- 本剤は、アミスルプリド鏡像異性体の非ラセミ混合物である。Sunovion 社は、アミスルプリドの薬理作用は鏡像異性体に特異的であり、S 体に対する R 体の比率を増加させることにより、ドパミン D<sub>2</sub> 受容体に比べてセロトニン 5-HT<sub>7</sub> 受容体への作用が高まることを見出した。本剤は、抗うつ作用を強めるためにセロトニン 5-HT<sub>7</sub> 活性を高め、双極性障害うつ治療に適したレベルのドパミン D<sub>2</sub> 受容体占有率となるよう R 体と S 体の比率が 85:15 に設計されている。
  - 開発段階: (大塚製薬㈱との共同開発)  
双極 I 型障害うつ フェーズ 3 (米国・日本)

- 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 2 (医師主導治験\*) (日本) \*実施者: 徳島大学

- DSP-6745** 起源: 自社、剤形: 経口剤
- 本剤は、セロトニン 5-HT<sub>2A</sub> とセロトニン 5-HT<sub>2C</sub> 受容体に対するデュアルアンタゴニストであり、パーキンソン病に伴う精神病症状、およびパーキンソン病の非運動症状 (non-motor symptoms; うつ、不安、認知機能障害) に対する効果が期待される。また、本剤はドパミン D<sub>2</sub> 受容体拮抗作用がない。
  - 開発段階: パーキンソン病に伴う精神病症状 フェーズ 1 (米国)

- SEP-378608** 起源: 自社 (Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤
- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-378608 を見出した。非臨床試験において、気分の制御に関係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: フェーズ 1(米国)(大塚製薬㈱との共同開発)

**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: フェーズ 1(米国)(大塚製薬㈱との共同開発)

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

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

**DSP-9632P** 起源: 自社、剤形: テープ剤

- ・ 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。
- ・ 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)

**DSP-0187** 起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 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。
- ・ 開発段階: ナルコレプシー フェーズ 1(日本)

**DSP-3456** 起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 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。
- ・ 開発段階: 治療抵抗性うつ 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: 固形がん フェーズ 1/2(米国)

### 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・日本)

### 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・日本)

### 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・日本)

### 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、がん細胞の好む嫌氣的

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

### 3. 再生・細胞医薬分野

#### 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、実施者: 京都大学医学部附属病院)
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。
- ・ 開発段階: (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  $\beta 3$  アドレナリン受容体作動薬である。膀胱の  $\beta 3$  アドレナリン受容体を選択的に作用し、膀胱を弛緩させることで、蓄尿機能を高め、過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿および切迫性尿失禁の症状を改善する。Urovant 社は過活動膀胱の適応症で2020年12月に米国で承認を取得した。
- ・ 開発段階: (新効能)前立腺肥大症を伴う過活動膀胱 フェーズ 3(米国)

#### lefamulin

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 2021年10月申請(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)

#### **KSP-1007**

起源: 自社 (北里研究所との共同研究)、剤形: 注射剤

- ・ 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。
- ・ 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)

## XI. フロンティア事業の主なプログラムの開発状況(2022年5月13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 周辺症状用機器	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	日本 試験販売中 (非医療機器)	(株)Aikomi、 損害保険ジャパン(株)
	メンタルヘルス VRコンテンツ	疾患学習、認知再構築トレーニング、マインドフルネス等をVRコンテンツ化したセルフマネジメントツール	米国 製品開発中 (非医療機器)	BehaVR社
	ウェアラブル 脳波計	日常的にどこでも測定可能な簡易型脳波計により、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	日本 製品開発中 (医療機器)	(株)ニューロスカイ
	難聴者用マルチ 会話表示デバイス	難聴者向けの新たなコミュニケーション支援ツールとして、複数の発話者を区別して発話内容を字幕で表示するデバイス	日本 製品開発中 (非医療機器)	ピクシーダストテクノロジー(株)
運動機能 障害	手指麻痺用 ニューロリハビリ 機器	脳卒中後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	日本 製品開発中 (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	糖尿病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	日本 製品開発中 (医療機器)	Drawbridge Health社

以上