



住友ファーマ株式会社

R&D 説明会

2026 年 2 月 17 日

イベント概要

[企業名] 住友ファーマ株式会社

[企業 ID] 4506

[イベント言語] JPN

[イベント種類] アナリスト説明会

[イベント名] R&D 説明会

[決算期]

[日程] 2026 年 2 月 17 日

[ページ数] 62

[時間] 14:00 – 15:46
(合計：106 分、登壇：50 分、質疑応答：56 分)

[開催場所] インターネット配信および大阪本社での対面

[会場面積]

[出席人数]

[登壇者] 5 名
代表取締役社長 木村 徹 (以下、木村)
代表取締役 副社長執行役員 経営企画 経理統括 渉外 コーポレートガバナンス
IT&データアナリティクス担当 酒井 基行 (以下、酒井)

常務執行役員 R&D 本部担当 R&D 本部長 兼 Sumitomo Pharma America 社
Chief Development Officer 佐藤 由美 (以下、佐藤)
オンコロジー事業戦略担当 兼 Sumitomo Pharma America 社 Lead Senior
Vice President 村田 眞志 (以下、村田)
コーポレートガバナンス部長 木野 孝一 (以下、木野)

[アナリスト名]

モルガン・スタンレーMUFG 証券	村岡 真一郎
JP モルガン証券	若尾 正示
大和証券	橋口 和明
SMBC 日興証券	和田 浩志

登壇

木野：お時間となりましたので、住友ファーマ、R&D 説明会を開催させていただきます。本日はご多用の中ご参加いただき、誠にありがとうございます。

司会を務めます、コーポレートガバナンス部長の木野でございます。

本日は、大阪本社会場と Zoom ウェビナーによるハイブリッド形式で進行いたします。アナリスト、投資家の皆様にはオンラインでご参加いただき、メディアの皆様には対面、オンラインいずれかでご参加いただいております。会場にお越しいただいたメディアの皆様には、短時間ではございますが、懇談の場もご用意しております。

なお、スムーズな進行のため、皆様にご案内とお願いがございます。ご自身の Zoom 画面に表示されている参加者情報を御社名とお名前に変更していただきますよう、ご協力をお願いいたします。

本日の流れでございますが、まずは弊社ウェブサイトに掲載しております説明会資料を用いまして、R&D 進捗と基本方針、がん主要開発 2 品目についてご説明させていただきます、次に質疑応答のお時間とさせていただきます。説明会終了予定時刻は、15 時 40 分を予定しております。

それでは、本日の出席者をご紹介します。代表取締役社長の木村、代表取締役副社長執行役員の酒井、常務執行役員の佐藤、オンコロジー事業戦略担当の村田、以上でございます。どうぞよろしくお願い申し上げます。

では最初に、木村より一言ご挨拶させていただきます。

木村：本日は当社の R&D 説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。会に先立ちまして、一言ご挨拶させていただきます。

先週の 13 日の金曜日になりますが、2 月 19 日開催予定の厚生労働省薬事審議会、再生医療等製品・生物由来技術部会の議題が公表されました。当社が承認申請中の非自己 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞についても、議題として挙げられました。製品名アムシェプリは部会での承認事項となりますので、これまで当社からは開示しておりませんでした。13 日に当社製品であることの開示をさせていただいております。

今後、部会でアムシェプリの承認、会議等が審議されまして、それを受けて、後日、最終的に厚生労働大臣より判断がなされます。これについては、進展があれば弊社からもご案内させていただきますので、よろしくお願いいたします。

木野：では、早速、本日のプレゼンに移らせていただきます。

では、まず佐藤より R&D 進捗と基本方針についてご説明させていただきます。佐藤さん、よろしくお願いいたします。

佐藤：よろしくお願いいたします。私は、R&D を担当しております、佐藤と申します。本日はよろしくお願いいたします。

Reboot 2027

- ✓ 抜本的構造改革の継続と並行して、研究開発型ファーマとしての基盤再建に取り組む
- ✓ 自社イノベーション基軸の価値創造サイクルを再構築することで復活への道筋をつける

基幹3製品
売上拡大により、当社グループの収益基盤を確立
2,500億円規模に拡大 (FY2027)

再生・細胞
iPS細胞-PDの承認・上市によりiPS細胞医薬品の事業開始
RACTHERAとの連携の下、事業拡大を進める

がん
最優先でリソースを投入し、最速開発を推進 (提携の活用)
enzomenib上市、nuvisertib申請 (FY2027)

CNS
蓄積したノウハウ・基盤技術を活かして開発を再始動
基幹3製品LOE後の収益基盤として期待

- 基幹3製品の売上拡大による収益基盤の安定化
- 再生・細胞およびがんの事業化から「価値創造サイクル」の構築を開始

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 4

それでは、ページを進めていただきまして、4 ページです。

さて、昨年 5 月に弊社は Reboot 2027 を公表いたしました。抜本的構造改革の継続と並行して、研究開発型ファーマとしての基盤再建に取り組むこと、そして自社イノベーション基軸の価値創造サイクルを再構築することで復活への道筋をつける。このように宣言いたしました。

■2025年度に目指したマイルストンの達成状況

1. がん領域の進捗（詳細はこの後説明）

- ✓ enzomenib (DSP-5336) :日米承認取得を目指し、KMT2A再構成を有する再発/難治性の急性白血病に対する単剤Ph2試験（検証コホート）を開始。ベネクラクス/アザシジン（Ven/Aza）との併用療法を含めた最新データをASH2025にて発表
- ✓ nuvisertib (TP-3654) :日米承認取得を目指し、再発/難治性の骨髄線維症に対しモメロチニブとの併用療法および単剤でのPh1/2コホートを推進中。最新データをASH2025にて発表
- ✓ SMP-3124のPh1/2コホートを推進中

2. 再生・細胞の進捗

- ✓ raguneprocet :先駆け指定申請に基づき、2025年8月に日本で製造販売承認申請。2026年2月19日再生医療等製品・生物由来技術部会にて審議される予定。米国では、医師主導治験（非凍結細胞）及び企業治験（凍結細胞）を推進中
- ✓ HLCR011（網膜色素上皮裂孔、日本）、DSP-3077（網膜色素変性、米国）について企業治験を推進中

3. 感染症

- ✓ ユニバーサルインフルエンザワクチン (fH1/DSP-0546LP) :Ph1試験中間解析にて、新規アジュバントの忍容性とLAH抗体価の上昇を確認。交差反応性、ウイルス活性解析中

2025年度に目指したR&Dのマイルストンの達成状況でございますけれども、オンコロジー領域の進捗については、このあと村田からご説明いたします。

再生・細胞の進捗につきましては、今、木村が申しましたとおり、今週、再生医療等製品・生物由来技術部会にて審議いただける予定となりました。

感染症領域につきましては、ユニバーサルインフルエンザワクチンのフェーズ1試験実施中でございますけれども、その中間解析について、新規アジュバントの忍容性とワクチンの有効性を示唆する抗体価の上昇について、昨年秋にご報告いたしましたところでございます。引き続き、ユニバーサリティを確認するための交差反応性、ウイルス活性について解析中でございます。

■主な開発品目一覧 (2026年1月30日現在)

領域	一般名/コード名	作用機序等	予定適応症	開発段階
精神神経	DSP-0038	セロトニン 5-HT _{2A} 受容体アンタゴニスト、5-HT _{2A} 受容体アゴニスト	アルツハイマー病に伴う精神病症状	フェーズ1
	DSP-0187*	選択的オレキシン 2 受容体アゴニスト	ナルコレプシー	フェーズ1
	DSP-3456	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	治療抵抗性うつ	フェーズ1
	DSP-0378	γ-アミノ酪酸 (GABA) _A 受容体ポジティブアロステリックモジュレーター	進行性ミオクローヌスてんかん 発達性てんかん性脳症	フェーズ1
	DSP-2342	セロトニン 5-HT _{2A} 、5-HT ₇ 受容体アンタゴニスト	未定	フェーズ1
	CT1-DAP001/DSP-1083 (日本)	他家PS細胞由来ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病/医師主導治験	申請 (2025/8)
	CT1-DAP001/DSP-1083 (米国)	他家PS細胞由来ドパミン神経前駆細胞	パーキンソン病/医師主導治験・企業治験	フェーズ1/2
	HLCR011 (日本)	他家PS細胞由来網膜色素上皮細胞	網膜色素上皮裂孔	フェーズ1/2
	DSP-3077 (米国)	他家PS細胞由来網膜シート	網膜色素変性	フェーズ1/2
がん	enzomenib/DSP-5336	選択的メニン阻害	急性白血病	フェーズ2
	nuvisertib/TP-3654	PIM1キナーゼ阻害	骨髄線維症	フェーズ1/2
	SMP-3124	CHK1阻害	固形がん	フェーズ1/2
	DSP-0390	EBP阻害	腺芽腫	フェーズ1
	その他	KSP-1007	β-ラクタマーゼ阻害	複雑性尿路・腹腔内感染症、院内肺炎
flH1/DSP-0546LP		アジュバント添加スプリットワクチン	インフルエンザ予防	フェーズ1

*開発権利国は、日本、中国および一部のアジア

こちらは、弊社のパイプライン一覧表でございます。

パーキンソン病の再生医療についてお示ししたこと、そして enzomenib について、検証的、申請用の試験を実施していることはご承知のとおりですけれども、そのほか後期の開発品目がなく、初期開発品が並んでいることがあって、これらをどうやって前に進めていくかが、弊社の喫緊の課題、重要事項になります。

■基本戦略とKey Success Factors (KSF)

自社創薬研究を通じた新たな価値の発見、臨床開発を通じた価値の創出および価値の最大化により価値創造サイクルを回していく

基本戦略

1. 当社の強みである低分子～中分子薬とiPS由来細胞をモダリティの基軸とし、オンコロジーとCNSをコア疾患領域として選択と集中により機会を最大化・加速化する
2. 患者シグナルを早期に取得することを重視し、Value Inflection Pointを見極め、機動的な出口戦略を実行する

当社のKSF

1. コア疾患領域を定め、長期にわたって取り組むことにより、当該領域における経験と組織の遂行能力を高め、成功確度の向上を図る
2. コア機能を定め、機能の充実を図るとともに変化への柔軟性を獲得し競争力を高める
3. 共同研究・共同開発を通じて研究開発リスクを低減するとともに、提携を通じて自組織の能力を検証し、組織の遂行能力の底上げを図る

こちらに R&D 基本戦略をお示ししました。

自社創薬研究を通じた新たな価値の発見、臨床開発を通じた価値の創出、そして価値の最大化によって価値創造サイクルを回していくことにしたいと思っています。

基本戦略として、当社の強みである低分子から中分子薬、そして iPS 由来細胞をモダリティの基軸として、オンコロジーと CNS をコア疾患領域として、選択と集中により機会を最大化・加速化していくと。そして、患者シグナルを早期に取得することを重視して、価値の転換点をしっかり見極めて、機動的な出口戦略を実行していくと。これを基本戦略として進めてまいります。

SMPの疾患領域と画期的新薬創薬力

コア疾患領域：がん、CNS

1. 市場規模と医療ニーズ

- いずれの領域も患者数が多く、アンメットニーズが高く、**低分子薬と再生細胞の活用が進む可能性が高い**

2. 当社の創薬力を最大限に活かす（右表）

- 当社は低～中分子薬の設計・合成・開発力に強みを持ち、**高難度標的分子への対応が可能**
- 従来モダリティで困難だった標的が多く存在する領域であり、**低分子薬の高機能化、最先端モダリティであるiPS細胞の活用**により、当社の技術力が活きる
- PDXモデル*、非齧歯類非臨床評価系、iPS細胞由来疾患モデルなどの充実したトランスレーショナル技術を保有し、臨床成功確度を高めることが可能

3. 研究開発パイプラインの継続性

- **ORGOVYX®・enzomenib・nuvisertib**を中心とした、がん研究開発パイプラインのさらなる拡張と補強
- **上市を見据えた再生細胞 raguneprocet の開発の進展**を通じた、連続性のあるCNS研究開発パイプラインの確立

FDA優先審査指定取得実績 (2012~)

- **nuvisertib** (2025 がん Fast Track)
- **enzomenib** (2024 がん Fast Track)
- **KSP-1007** (2022 感染症 Fast Track)
- **DSP-7888** (2020 がん Breakthrough Therapy)
- **ulotaront** (2019 CNS Breakthrough Therapy)

- ✓ 日本製薬企業の低分子薬の創薬力が低下する中、低分子創薬の可能性を追求し、国内トップレベルで、継続してFDA優先審査指定を取得（自社化学合成品、低分子:4、合成ペプチド:1）

* PDXモデル：Patient-Derived Xenograftモデル、患者由来の腫瘍組織を免疫不全マウスに移植し、薬効評価を行う前臨床モデル

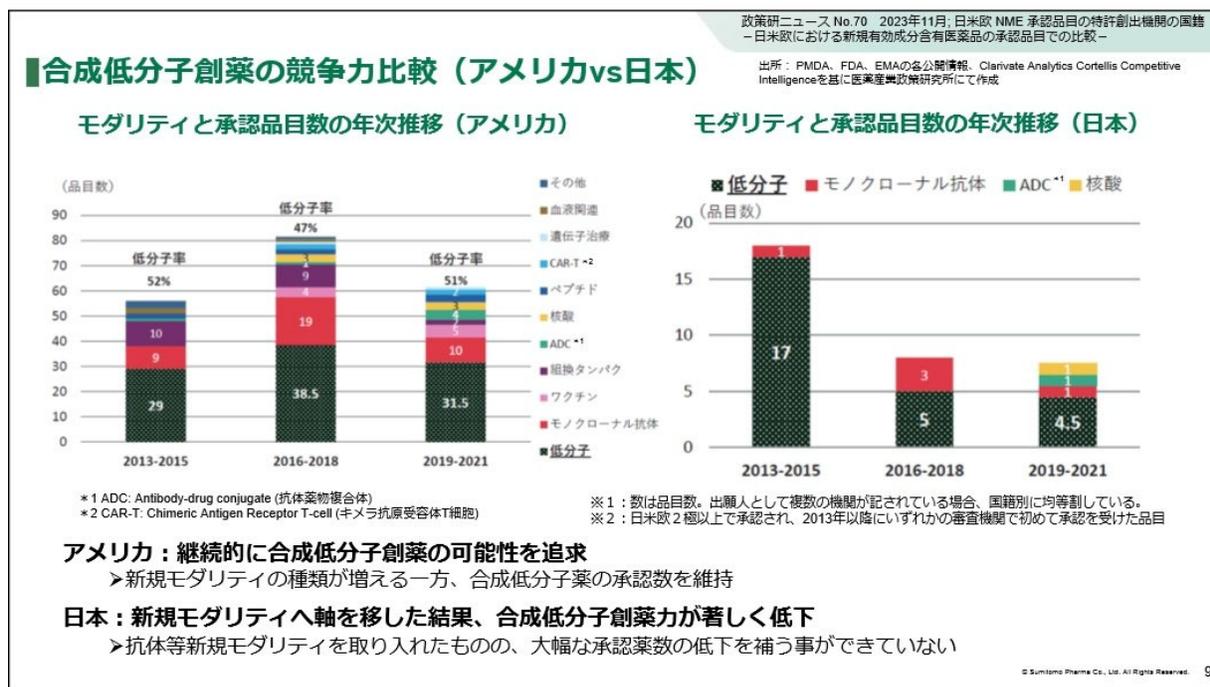
© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 8

ただ今、コアの疾患領域は、オンコロジー、がん、CNSであると申し上げました。これらいずれの領域も患者数が多く、アンメットメディカルニーズが引き続き高く、低分子薬と再生細胞の活用が進む領域だと認識しております。

当社は低分子から中分子薬の設計・合成・開発力に強みを持っており、高難度標的分子への対応が可能だと認識しております。実際、右側には2012年以降のFDAからの優先審査指定取得実績をお示ししました。ここに5品目、弊社が取得した品目を並べておりますけれども、いずれも低分子から中分子のものでございます。この数は国内製薬企業でもトップレベルだと認識しております。

従来モダリティで困難だった標的が多く存在するオンコロジーとCNSでございませけれども、低分子薬の高機能化、そして最先端モダリティであるiPS細胞の活用によって、当社の技術力を活かしていけるものと考えております。また、ここにお示ししましたように、複数の充実したトランスレーショナル技術を持っておりまして、臨床成功確度を高めながら進めていくことができると思っております。

ORGOVYX、enzomenib、nuvisertib といった既存パイプラインを中心とした、がん研究開発パイプラインのさらなる拡張と補強、そして raguneprocet の開発の進展を見極めつつ、そこに関連して、連続性のある CNS 研究パイプラインの確立という形で進めていきたいと思っております。



ここでは、政策研のニュースレターから、合成低分子創薬の競争力について情報をお示ししました。地域としてアメリカと日本を持ってきておりますけれども、創出国別で日本とアメリカ、そして時期別にグローバルの承認品目数を縦軸にして、モダリティ別に数を並べています。

これを見て分かることとしましては、日本は新規モダリティに軸を移していった結果、合成低分子創薬力が結果として下がってきていると。抗体など新規モダリティを取り入れたものの、大幅な承認薬数が補えていないのが現状です。

一方で、アメリカにつきましては、この黒のところですけれども、合成低分子が、継続的に承認が取れていると。新規モダリティの種類が増えてきている一方、合成低分子薬の承認数は維持されているということで、これはすなわち合成低分子薬の引き続く可能性があることを裏づける情報だと認識しております。

■がん領域の拡大戦略

- ✓ 自社製品・パイプライン・技術基盤を活用、パイプライン強化と次世代薬剤創出の双方を推進
- ✓ 加えて、新規標的・技術基盤の探索を継続し、持続的な成長を実現する研究開発体制を構築する

自社製品を活かす

ORGOVYX®を起点とした次世代薬剤創出 ▶ 前立腺がん領域の連続性強化

Tier
01

自社パイプラインを活かす

enzomenib・nuvisertibの適応取得・適応拡大 ▶ 造血器腫瘍パイプラインの拡充

Tier
02

自社技術基盤（Liposomal Nanomedicine）を活かす

SMP-3124の開発推進
・ 技術基盤の検証
・ 内包化合物の標的の検証 ▶ 「技術基盤」「標的」両面からの展開

Tier
03

ここから、がん領域での拡大戦略をお示しました。

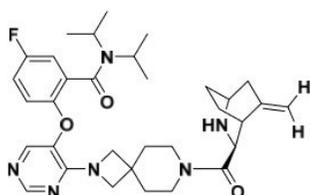
Tier 01として、自社製品を活かすとしております。ORGOVYXを起点とした次世代薬剤創出ということで、前立腺がん領域の連続性強化に取り組んでおります。

Tier 02として、自社パイプラインを活かす。enzomenib、nuvisertibの開発推進、適応拡大活動を通じて得られるナレッジ、情報を活用して、造血器腫瘍パイプラインの拡充を進めてまいりたいと思います。

Tier 03として、自社技術基盤、ここではLiposomal Nanomedicine技術と書いておりますが、を活かす。SMP-3124の技術を活用しておりますけれども、この技術基盤の検証、内包化合物の標的の検証を進めつつ、この技術を活かしたパイプラインを構築してまいりたいと思っております。

enzomenib (DSP-5336)

アカデミアとの共創を起点とし、当社の緻密な化合物設計力・合成力、競争を見越したプロファイル設計によって競争力のある品目を創製した



- 高難度の蛋白-蛋白結合阻害作用を有する低分子薬
- 複雑な構造を有し、従来の経口低分子の常識に捕らわれない化合物設計
- 他社との激しい競争の中、**強固な特許ポートフォリオを構築中**



アカデミアとの共創による創薬標的の発見

- ✓ DSKプロジェクト*1（アカデミア基礎研究と企業研究のマッチング）でメニンサイエンスの先駆者である横山明彦先生を代表研究者に迎え入れた



化合物設計力とMDシミュレーション*2

- ✓ 新しい標的結合部位の発見と効率的に結合する化合物の設計力
- ✓ 工業化可能な化合物を実際に作れる有機合成力



激しい競争を見越したプロファイル設計

- ✓ 競争を見据え、高い薬理効果と心毒性の回避を重視
- ✓ 患者層別化、臨床効果予測を可能にするバイオマーカーの開発

*1 DSKプロジェクト：京都大学と住友ファーマによる産学連携のがん創薬プロジェクト。2011年度（第1期開始）から2020年度（第2期終了）まで実施。

*2 MDシミュレーション：分子力学（Molecular Dynamics）シミュレーション。化合物やタンパク質の動きを原子レベルで再現し、結合様式や安定性を評価する計算手法。

11

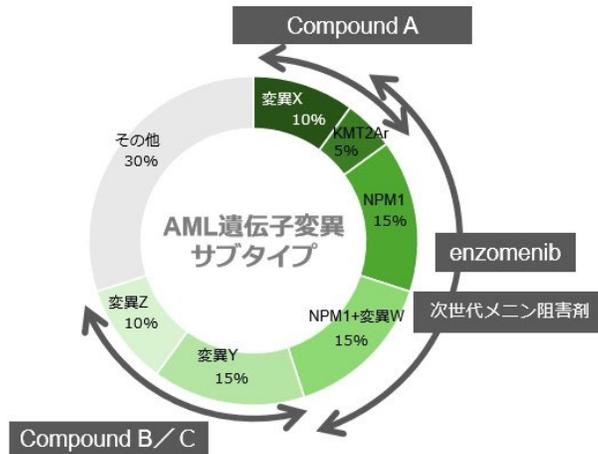
ここで、enzomenib につきまして、創製経緯をご紹介させていただきます。

これは、アカデミアとの共創によって創薬標的を発見いたしました。そして、新しい標的結合部位の発見、そして効率的に結合する化合物の設計、工業化可能な化合物を実際につくっていく有機合成力、これらを組み合わせて、enzomenib は創製してきたものです。

加えて、激しい競争を見据えて、高い薬理効果と心毒性の回避を重視した創薬活動を進めて、作ってきた化合物でございます。

急性骨髄性白血病（AML）創薬のカバレッジ

当社のパイプライン群はAML遺伝子変異サブタイプの約70%に対する効果が期待でき、AMLに対して包括的で連続性のあるポートフォリオが構築されつつある



enzomenib:

- KMT2A再構成およびNPM1変異
- 単剤療法、Ven/Aza*との併用療法
- Ph2実施中

次世代メニン阻害剤:

- メニン阻害剤不応答 or 再発（獲得耐性）
- 単剤療法、併用療法
- 非臨床研究推進中

Compound A/B/C:

- 既存治療抵抗性（変異X/Y/Z）
- 単剤療法、併用療法
- 非臨床研究推進中

* Ven : ベネトクラクス、Aza : アザシチジン

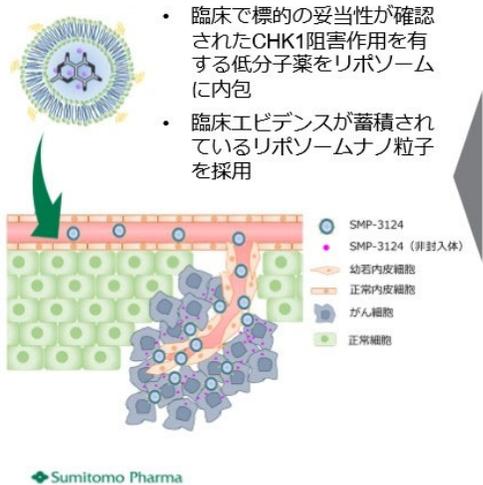
こちらは、急性骨髄性白血病、AML の創薬戦略でございます。

現在、enzomenib につきましては、KMT2A 再構成および NPM1 変異を対象として開発を進めております。

こちらは、既存のメニン阻害剤では反応されない患者様、あるいは再発してしまう患者様がおられまして、これらを対象とした次世代メニン阻害薬です。そして、enzomenib とは違う変異をカバーできるような別の化合物といったものの創薬に取り組んでおりまして、最終的には全体の 70% ぐらいをカバーできるようなパイプライン群を構築していきたいと考えております。

SMP-3124

- ✓ 先行事例を活用した製品設計により、臨床成功確度を向上
- ✓ SMP-3124の開発を通じてLiposomal Nanomedicine技術を検証



アカデミアとの共創による創薬標的の発見

- ✓ 京都大学産婦人科（万代先生、濱西先生）との共同研究により卵巣がんの臨床検体を用いて自社キナーゼHTSライブラリを評価
- ✓ CHK1阻害が卵巣がんに対し最適な標的であることを発見



先行事例をふまえたプロファイル設計

- ✓ 先行CHK1阻害剤の開発停滞要因が有効性ではなく、副作用と十分に乖離しないことが課題であることに着目



Liposomal Nanomedicine技術

- ✓ 生体内での徐放性とがん組織への薬剤蓄積効果によって、局所で薬剤血中濃度を維持、副作用の軽減と有効性の増強を期待
- ✓ リポソーム製剤の物性に適した内包化合物（選択的CHK1阻害剤）の設計力と合成力
- ✓ 幅広い標的への適用範囲を期待

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 13

SMP-3124 のご紹介でございます。

こちらアカデミアの先生方との共創によって創薬標的を発見し、CHK1 阻害剤が卵巣がんに対して最適な標的であることを見だしております。

このあと、既存の先行 CHK1 阻害剤については開発が滞留している状況ですけれども、この理由は有効性がないということではなくて、安全域が狭いということが課題であることに着目し、Liposomal Nanomedicine 技術を使って、徐放性、そしてがん組織への薬剤蓄積効果によって、安全域の確保というコンセプトで進めてまいりました。

併せて、リポソーム製剤の物性に適した内包化合物を設計し、合成するというコンセプトで、この化合物を見だしまして、現在フェーズ 1 試験でこのコンセプトを確認しつつある状況でございます。

CNS領域の創薬戦略

- ✓ CNS領域は、治療につながる薬剤開発が停滞しており、長期的に医療ニーズが残存する領域
- ✓ 創薬難度が高く、他社の参入障壁は高い。豊富な経験、アセット、強みを生かし、着実に展開

高い臨床成功確度が見込める品目

- DSP-0378 (GABA_A受容体PAM*)
 - パーキンソン病の運動症状改善薬候補品
- ✓ 治療効果の裏付けが明確
 - ✓ 既存薬との差別化につながるユニークな作用
 - ✓ 客観的指標を活用し、コンパクトに有効性を検証

Tier
01

神経変性疾患の疾患修飾薬

- パーキンソン病を中心とした複数の疾患修飾薬候補品
- ✓ 病態解明が進み、取り組むべき創薬標的を特定
 - ✓ 脳の細胞内異常蓄積物を除去する低分子の優位性
 - ✓ 先端的なバイオマーカー技術を活用し、患者での有効性シグナルを早期検出

Tier
02

神経疾患に伴う精神症状に対する治療薬

- DSP-2342 (5-HT_{2A}・5-HT₇受容体アンタゴニスト)
 - 複数の精神症状改善薬候補品
- ✓ ラツータ®・ulotarontで蓄積した経験・アセットを神経変性疾患に活用
 - ✓ 背景が均質な疾患でのバイオマーカーの活用により、有効性シグナルを早期検出

Tier
03

Sumitomo Pharma

*Positive Allosteric Modulator

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 14

次に、CNS領域の創薬戦略に移ってまいりたいと思います。

CNS領域は、治療につながる薬剤開発が停滞しており、長期的に医療ニーズが残存する領域です。創薬難度が高く、他社の参入障壁が高いと認識しております。弊社の長く豊富な経験、そして保有しているアセット、強みを活かして、着実に展開してまいりたいと思います。

Tier 01として、高い臨床成功確度が見込める品目群を置きました。治療効果の裏づけが明確であること、既存薬との差別化につながるようなユニークな作用を持っている化合物でございます。客観的指標を活用して、コンパクトに有効性の確認を進めてまいりたいと思っております。DSP-0378、希少てんかんの薬ですけれども、こちら、それからパーキンソン病の運動症状の改善薬についても、その候補品の臨床開発を間もなくスタートさせる予定にしております。

Tier 02として、神経変性疾患の疾患修飾薬を置きました。病態解明が進んできている領域でございまして、取り組むべき創薬標的の特定も可能になってきています。パーキンソン病を中心とした複数の疾患修飾薬の候補品の創出に取り組んでいるところでございます。

Tier 03として、神経疾患に伴う精神症状に対する治療薬群がございます。ラゾーダ、そして ulotaront で蓄積してきた経験・アセットを神経変性疾患に活用して、背景が均質な疾患でのバイオマーカー活用によって、有効性シグナルを早期検出するということで進めていきたいと思えます。

これらはいずれも開発ステージとしては非常に若うございまして、初期臨床開発に注力して、後期ステージの開発品目を生み出していくことが、われわれの喫緊の課題と目標になっております。

DSP-0378

- ✓ 抗てんかん薬を指向した化合物群に“症状”を評価する独自のスクリーニング手法を適用
- ✓ 臨床で効果が実証された“妥当な標的”に対するユニークな作用機序を発見

- ✓ ユニークな薬理作用
- ✓ 優れた脳移行性
- ✓ 望ましい安全性プロファイル

*1 フェノタイプスクリーニング：細胞や動物における病態を反映した特徴への作用を評価して絞り込む方法
*2 NHP：non-human primate、非ヒト霊長類

- 過去の抗てんかん薬の経験**
 - ✓ エクセグラン®、DSP-0565の開発の経験から、抗てんかん薬に適した化合物ライブラリを保有
 - ✓ このライブラリを活用し、起点化合物を発見
- 独自の薬理評価戦略による絞り込みと臨床で効果が実証されている標的の同定**
 - ✓ 臨床を反映したフェノタイプスクリーニング*1により、難治てんかんに最適な化合物を見出した複数の薬理評価系でメカニズムと作用点を同定
 - ✓ 臨床で効果が実証されている標的（GABA_A受容体）への、既存薬にないユニークな作用を確認
- トランスレーショナルバイオマーカー設計**
 - ✓ NHP*2を活用し、薬理作用を確実に臨床で反映するトランスレーショナルバイオマーカー（脳波）を特定

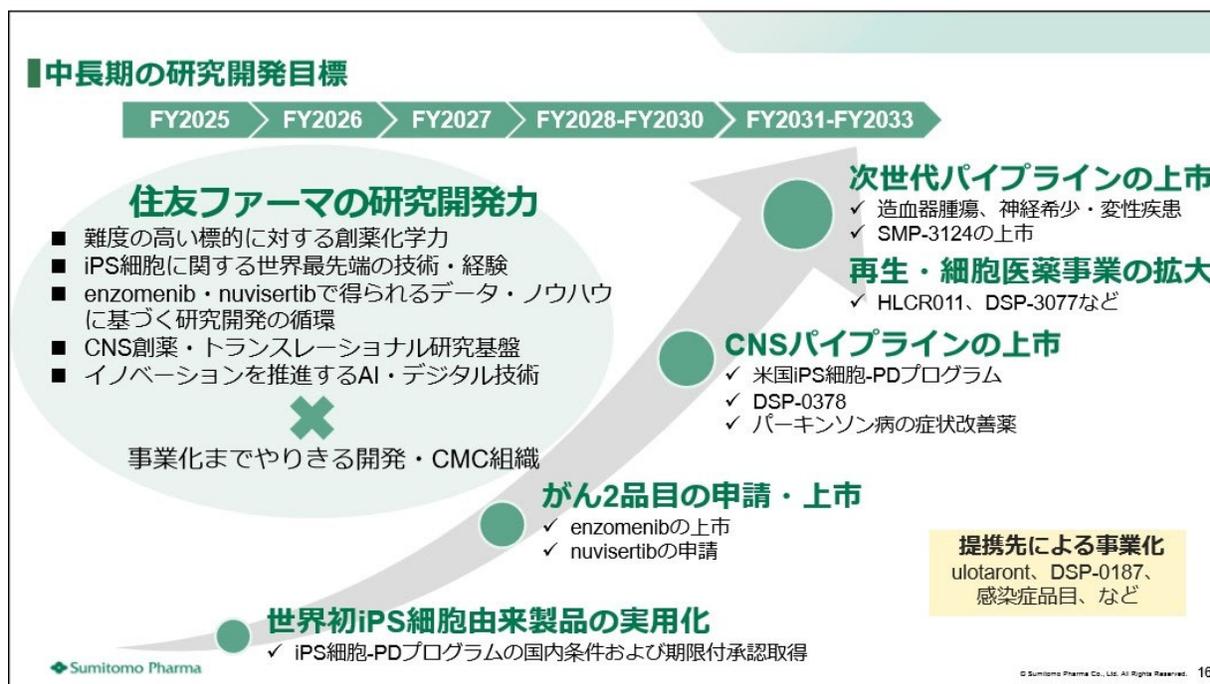
© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 15

こちらは、DSP-0378 の発見の経緯でございます。

われわれはエクセグランという抗てんかん薬、古いものでございますが、持っております。また、ほかの開発経験から、この分類に適した化合物ライブラリを保有してございまして、ここからこの剤の起点化合物を見つけしております。

また、臨床を反映したフェノタイプスクリーニング、そして複数の薬理評価系で、難治てんかんに最適な化合物、そして作用点を同定ということで進めてきております。

臨床で効果が標的されて、実証されている GABAA レセプターに作用いたしますけれども、既存薬とは異なるユニークな作用を有していることを確認しており、またトランスレーショナルバイオマーカーも特定しており、現在、患者さんに対する安全性を確認しながら、有効性シグナルを見るという試験に着手したところでございます。



これらを踏まえまして、本年度末には世界初となる iPS 細胞由来製品の実用化、国内条件・期限付承認と考えておりますけれども、これを踏まえてフェーズ4 試験を着実に進めていければと思っております。

また、注力しておりますオンコロジー2 品目、enzomenib、nuvisertib につきましては、着実に開発を進め、価値ある剤として世の中に出していきたいと考えております。

そして、2030 年代の前半には、iPS 細胞-PD プログラムの米国上市、そして先ほどご説明した DSP-0378、パーキンソン病の症状改善薬というように、上市できるように開発を進めていくと。

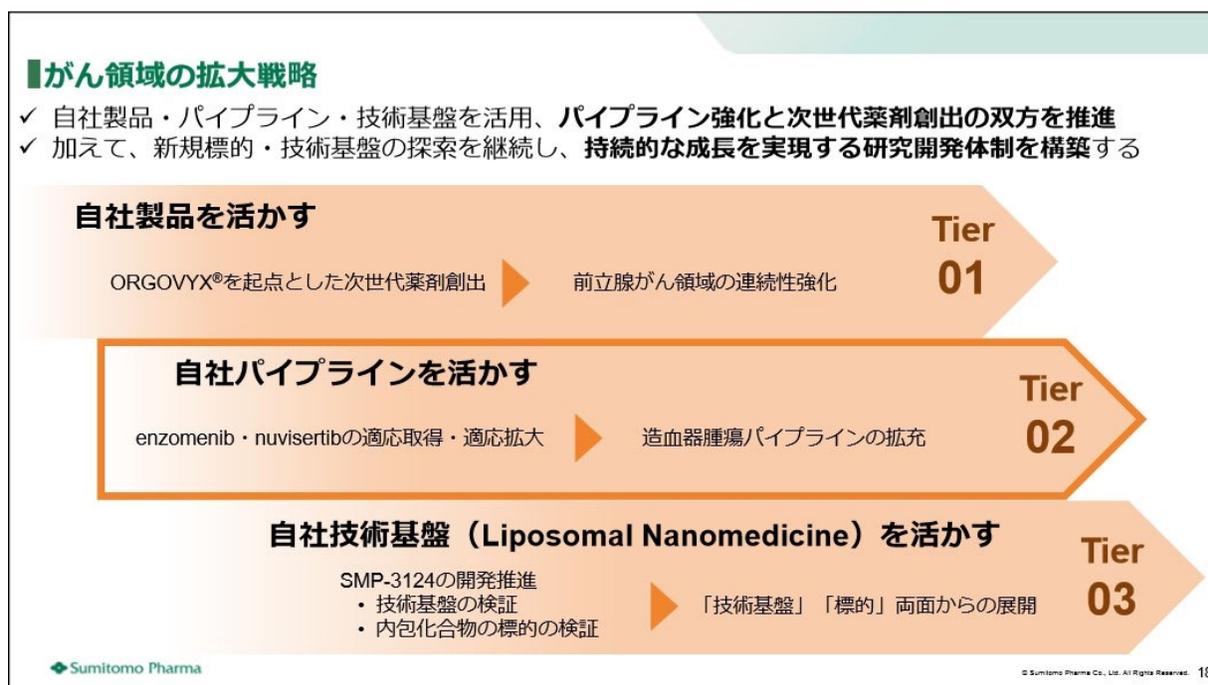
そして、次世代のオンコロジー、CNS の品目群、再生・細胞医薬事業の拡大というように着実に歩みを進めて、弊社グループの価値創造サイクルの再構築に力強く貢献してまいりたいと考えております。

私からは以上です。ありがとうございました。

木野：佐藤さん、ありがとうございました。

では続きまして、村田より、がん主要開発 2 品目についてご説明いただきます。村田さん、よろしくをお願いいたします。

村田：改めまして、オンコロジー事業戦略担当の村田と申します。どうぞよろしくお願いいたします。



先ほど佐藤から、がん戦略の拡大戦略をご紹介させていただきましたけれども、本日、私からご紹介させていただきたいのは、Tier 02 にあります「自社パイプラインを活かす」ところの中にあり

まず、enzomenib と nuvisertib の適応取得、それから適応拡大について、われわれが取り組んでおる内容についてご紹介させていただきたいと思います。

enzomenib、nuvisertib のデータに関しましては、昨年 12 月の米国の血液学会で発表したデータを主に活用しておりますので、もしかするとその内容をお聞きになった方もいらっしゃるかもしれませんが、この機会に改めてわれわれがどのようにそのデータを受け止めているのかをご紹介しつつ、この 2 剤の可能性についてご披露させていただければと思っております。

A slide graphic for the drug enzomenib. It features a light green header with a dark green geometric shape on the left. The drug name 'enzomenib' is prominently displayed in bold. Below it is a table with three rows: '作用機序' (Mechanism of Action) as '選択的メニン阻害' (Selective mTOR inhibition), '開発段階' (Development Stage) as 'フェーズ2' (Phase 2), and '予定適応症' (Planned Indications) as '急性白血病 (KMT2A再構成型、NPM1変異型)' (Acute leukemia (KMT2A rearranged, NPM1 mutant)). The Sumitomo Pharma logo is in the bottom left, and the copyright notice '© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 19' is in the bottom right.

作用機序	選択的メニン阻害
開発段階	フェーズ2
予定適応症	急性白血病 (KMT2A再構成型、NPM1変異型)

最初は、enzomenib になります。

作用機序は選択的メニン阻害剤でございます。現在、開発段階はフェーズ 2 でございます。予定している適応症は急性白血病となります。その中でも、KMT2A 再構成型と NPM1 変異型と呼ばれる特定の遺伝子変異を持っているような急性白血病の患者さんが対象となると考えております。

enzomenib

急性骨髄性白血病 (AML) の疾患背景

- ✓ 病状の進行が早く、**早期診断・治療が極めて重要**
- ✓ **約50%が再発**し、再発後の予後は厳しく、生存期間中央値は**5~6ヶ月**

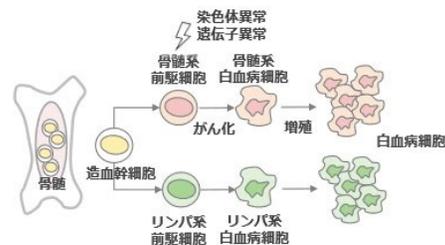
病態・症状

未熟な白血病細胞が増殖し、貧血・出血・感染症などの**全身の臨床症状が急速に進行**する

- 発熱、疲労感、めまい、頭痛、嘔吐
- 貧血、出血、感染症
- 精神症状
- リンパ節膨脹、肝脾腫

予後・転帰

- 治療により完全寛解を達成しても**約50%が再発**する
- 患者が有する遺伝子変異によっては予後が悪くなる
- **成人の5年生存率は~30%**
(多くは高齢で、集中的な化学療法に耐えられない)
- **小児および青年では5年生存率は~65%**



	米国	日本
新規患者数/年*	約21,000人/年	約8,000人/年

*Global Data Epidemiology Database(2025)から概算

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 20

まず、対象としております疾患について、簡単にご紹介いたします。

ここには急性骨髄性白血病の疾患背景という形でまとめておりますけれども、骨髄の中にあります造血幹細胞の中でも、骨髄系の細胞に分化する前駆細胞がありまして、これがなんらかの遺伝子変異を伴うことでがん化して、白血病に至るとというのがこの病気の原因でございます。

急性という名前が付いているとおり非常に進行が速くて、再発してしまうと予後が非常に悪いという難治性の疾患でございます。

新規の患者さんはアメリカで2万1,000人、日本で約8,000人という少ない患者数ではあるんですけども、ひとたび発症しますと約50%の方が再発し、かつ5年生存率は30%程度ということで、予後が非常に悪い疾患でございます、ここに対する医療ニーズが非常に高いという状況でございます。

enzomenib

現在の治療環境とアンメットメディカルニーズ

- ✓ 高齢者や移植非適応患者への治療選択肢が限られ、**再発/難治例への実効的な治療は、依然乏しい**
- ✓ 遺伝子変異に応じた分子標的薬が普及しつつあるものの、**治療満足度は十分とは言えない**



*1 Ven: ベネトクラクス、Aza: アザシチジン *2 自社における調査 (2026年1月時点)

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 21

こちらは、現在、どのような治療が行われているかと、それがどのように臨床効果を出しているかをまとめたものでございます。

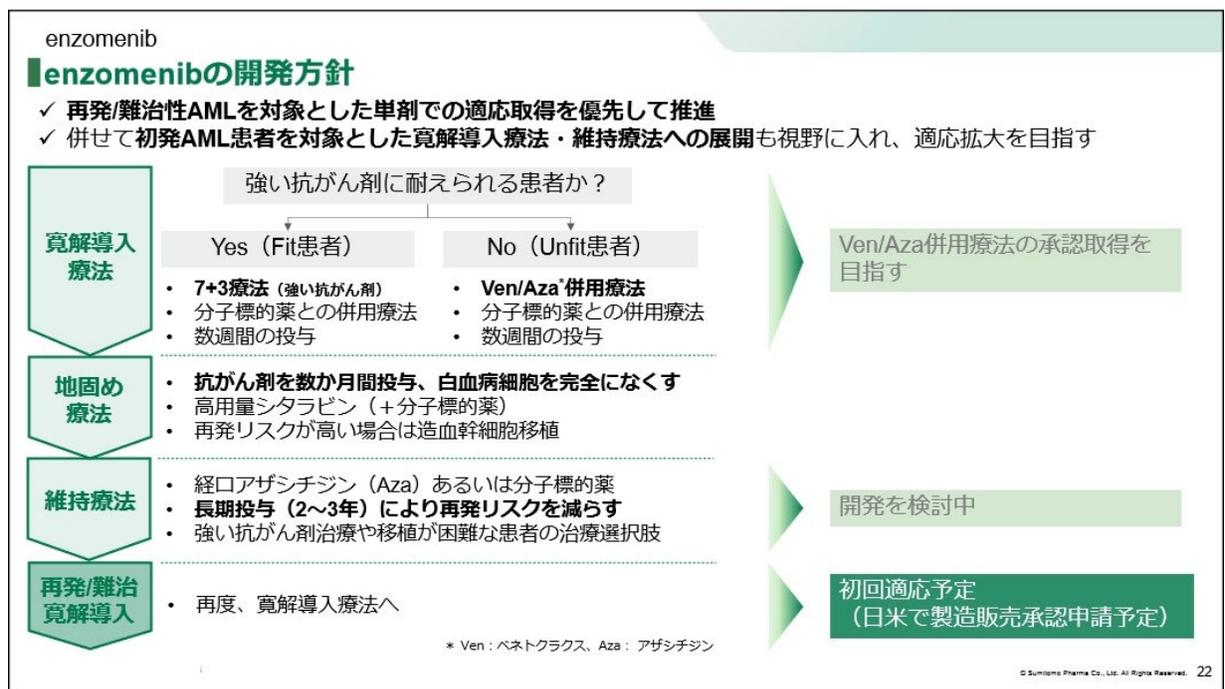
基本的には、急性白血病の治療は約40年前に開発されました、強力な抗がん剤を使って白血病細胞を徹底的にたたくと。それによって寛解を目指して、そのあと骨髄移植を行って、正常な造血機能を回復するというのが治療方針でございます。

一方で、強力な抗がん剤を使用することがあるために、治療によって亡くなるような患者さんも5%から10%ほどいらっしゃるといわれておりますので、強い抗がん剤に耐えられない患者さんに対するアンメットニーズが高いですし、強い抗がん剤に耐えられるとしても、より安全な治療法が望まれていると思われまます。

右側に挙げておりますのは、急性白血病の原因となっているような遺伝子変異でございます。一部オーバーラップしていますので、合計すると100%以上になってしまいますけれども、いくつかの遺伝子変異に対して、その遺伝子変異に対して作用するような剤がいくつか、2010年代頃から開発されまして、2015年頃から臨床で使われるようになってまいりました。IDH1/2であったり

FLT3、これらは 2010 年代中頃から承認されて使われるようになっておりますが、これらの治療も 20%から 30%の奏効率にすぎないところがございます。

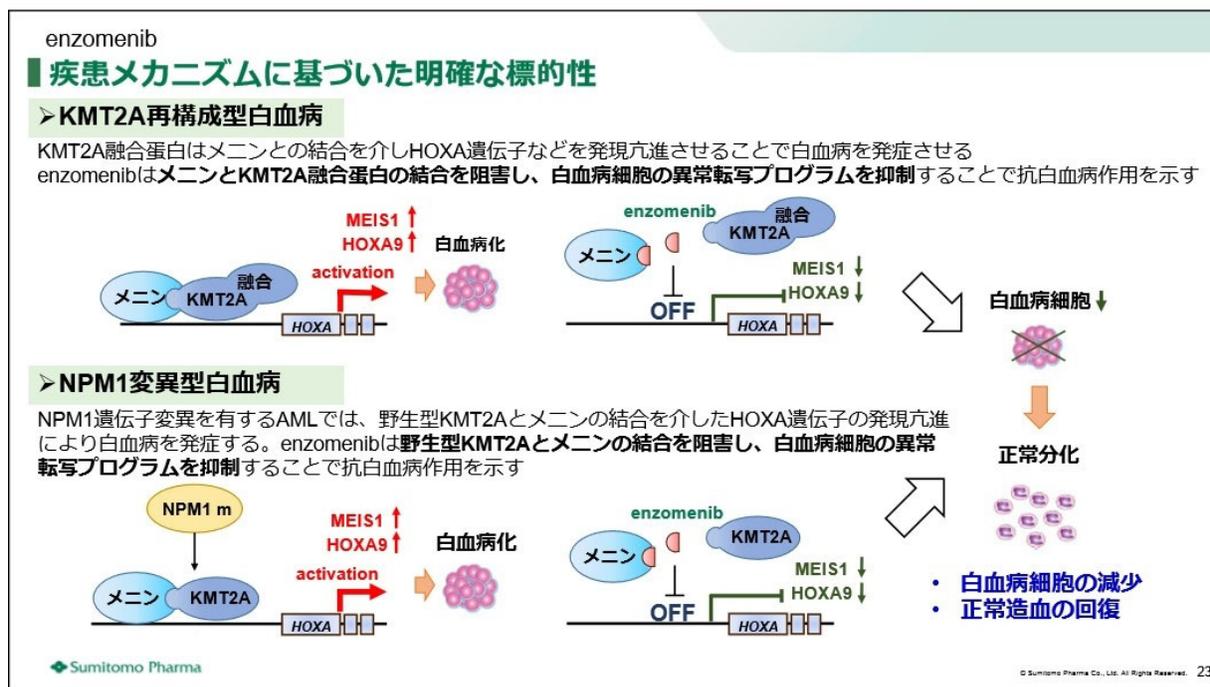
今回、われわれが対象としています NPM1 変異であったり、一番下にあります KMT2A 再構成という患者さんも近年、そこを対象とした承認薬が出てきているところがございますけれども、治療満足度は決して高くないとわれわれは分析しております、ここに対する医療ニーズは引き続き存在していると考えております。



われわれが開発しております enzomenib ですが、まず再発/難治の患者さんを対象にした単剤での有効性、安全性の試験の結果でもって、初回の適応を目指すというのが最初の戦略でございます。

そのあと、白血病全体の治療に enzomenib を使っていただきたいと考えておりますので、初発の患者さんの寛解導入療法の中で、特にベネトクラクス/アザシチジンという 2 剤を併用する療法の中に enzomenib を組み合わせて、3 剤併用での適応を取得することに今後取り組んでいきたいと考えております。

また、骨髄移植に至る、あるいは治療を継続して行っている維持療法の中に enzomenib を使って
 いただいて、長く寛解の状態を維持できるようなことを達成して、予後を延ばすことができると
 考えております。

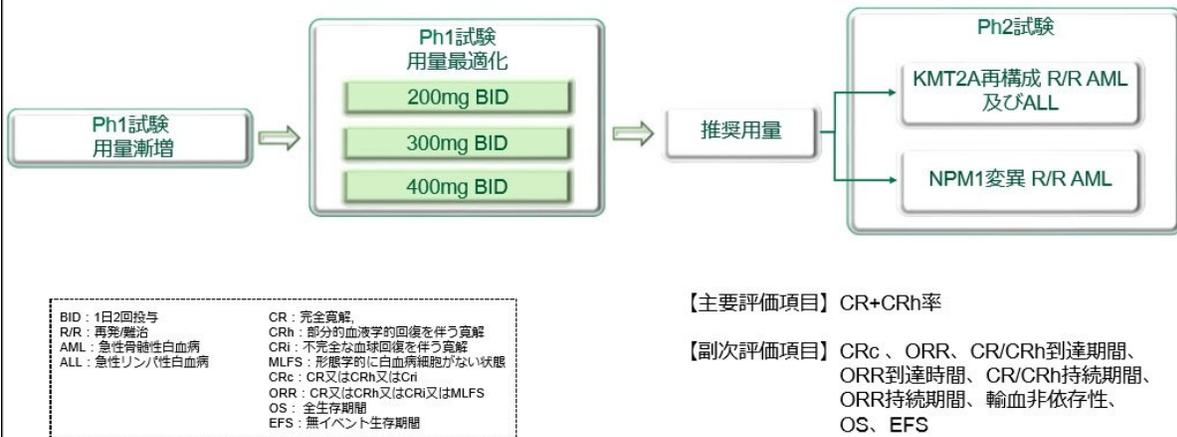


このページは、enzomenib の作用機序になります。

白血病の原因となります遺伝子変異の中で、このメニンの KMT2A 再構成型の白血病は、KMT2A という分子とメニンが融合しているような変異になっております。この変異を持っている患者さんでは、ここに挙げられているような遺伝子群が構造的に活性化していることによって、本来、分化していかねばいけない前駆細胞が、分化が止まってしまって、増殖に向かって白血病化するという状況になります。

NPM1 変異型も同様に、ここの部分に NPM1 変異が入ることで、この機能が活性化している状態で白血病化につながっているんですけども、enzomenib はこのメニンと KMT2A の相互作用を解除することによりまして、異常化している転写のプログラムを止めて、白血病が正常化していくという作用機序が考えられているということでございます。

■再発/難治性の急性白血病に対する単剤療法



ここからは、臨床の結果についてのご紹介でございます。

最初に、再発/難治性の急性白血病に対する単剤での治療の試験の結果になります。

この試験は、まずフェーズ1の試験として、用量漸増という形で、どのような用量がこの患者さんにとって安全に投与できるのかを評価する目的で行っている、用量漸増のパートが終わりまして、そのあと、FDAから出ておりますProject Optimusというガイドラインに基づきまして、推奨用量を決定するための比較試験を行っております。200ミリグラム、300ミリグラム、400ミリグラムを1日2回投与量での3用量を比較するというところを行いまして、推奨用量を決定し、そのあとフェーズ2試験として有効性を評価する試験という形で進んでおります。

フェーズ2の試験の対象は、冒頭に申しましたように、KMT2A再構成を持っている患者さんとNPM1変異を持っている患者さん、この二つの患者さんを対象にフェーズ2の試験を行う形でございます。

安全性：単剤

再発/難治性の急性白血病に対する単剤療法

単剤投与における忍容性を確認

✓ 用量制限毒性（DLT）や治療関連死・投与中止例は認められず、忍容性は良好

発現率が20%以上の有害事象（n=116）

事象名	全てのグレード	グレード3以上
HEMATOLOGIC		
発熱性好中球減少症	32 (27.6%)	31 (26.7%)
血小板数減少	26 (22.4%)	25 (21.6%)
好中球数減少	25 (21.6%)	24 (20.7%)
NON-HEMATOLOGIC		
悪心	46 (39.7%)	4 (3.4%)
嘔吐	32 (27.6%)	2 (1.7%)
下痢	30 (25.9%)	1 (0.9%)
敗血症	29 (25.0%)	28 (24.1%)
食欲減退	28 (24.1%)	4 (3.4%)
頭痛	28 (24.1%)	2 (1.7%)
低カリウム血症	27 (23.3%)	0

※QT延長は9.5%（グレード3は2.6%）

enzomenibと関連のある有害事象（発現率が5%以上）n=116

事象名	全てのグレード	グレード3以上
HEMATOLOGIC		
血小板数減少	9 (7.8%)	8 (6.9%)
好中球数減少	8 (6.9%)	8 (6.9%)
白血球増加症	7 (6.0%)	3 (2.6%)
NON-HEMATOLOGIC		
悪心	19 (16.4%)	1 (0.9%)
分化症候群	15 (12.9%)	9 (7.8%)
嘔吐	13 (11.2%)	1 (0.9%)
味覚不全	7 (6.0%)	0
下痢	6 (5.2%)	0

まず、フェーズ1の目的であります、安全性に対する評価の結果をこちらにお示ししております。

左側は発現率が20%以上の有害事象をまとめたもので、安全性評価対象はこの試験に参加した全ての患者さんとなりますので、今年の10月4日のカットオフ時点で116名のデータになります。

右側は認められた有害事象のうち、enzomenibと関連があると判断された有害事象になりまして、発現率が5%以上のものだけをピックアップして並べております。有害事象そのものの頻度が全体的に低くて、この用量漸増試験の中では、用量制限毒性につながるような毒性は観察されておりません。また、幸いなことに、治療関連死であったり、毒性によって投与中止に至る例も認められておりませんので、enzomenibは安全に投与することができまして、忍容性は良好であると考えております。

佐藤が先ほど説明した中でちょっと触れておりましたけれども、心毒性を回避するところについても、この剤を設計する上では工夫している点ございまして、そちらについても非常に頻度が低いことを確認できているところでございます。

enzomenib		米国血液学会2025口頭発表データ 2025年10月4日データカットオフ		
■有効性：単剤		再発/難治性の急性白血病に対する単剤療法		
単剤での有効性を確認				
<ul style="list-style-type: none"> ✓ KMT2A再構成型AML/ALL患者(300 mg BID)：CR+CRh率は40.0%、OS中央値:11.8か月 ✓ NPM1変異型AML患者：CR+CRh率は37.5-50.0% 				
	KMT2A再構成	NPM1変異		
	300mg BID n=15	200mg BID n=10	300mg BID n=7	400mg BID n=8
Overall Response Rate (CR/CRh/CRi/MLFS)	73.3%	60%	57.1%	37.5%
Composite CR rate (CR/CRh/CRi)	60%	50%	42.9%	37.5%
CR+CRh rate	40%	50%	42.9%	37.5%
Median Time to CR/CRh	1.6カ月	3.7カ月		
Duration of CR/CRh	12.5カ月 (n=11)	5.7カ月 (n=11)		
Median Overall Survival	11.8カ月	8.5カ月		

BID：1日2回投与
 CR：完全寛解
 CRh：部分的血液学的回復を伴う寛解
 CRi：不完全な血球回復を伴う寛解
 MLFS：形態学的に白血病細胞がない状態

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 26

続きまして、単剤での有効性の結果でございます。

左側は、KMT2A再構成の試験の結果です。ここにお示ししている結果は、10月4日のカットオフ時点で推奨用量を決定する試験の結果が得られておりまして、最終的に300ミリグラムを、1日2回を推奨用量として決定しておりますので、この試験の結果になりますけれども。

この試験の臨床的な意義として評価される反応としては、一番上にあります Overall Response Rate、要はがん細胞が減っていますかということの指標に加えて、患者にとって本当に意味があるのは Composite CR rate と呼ばれるもので、白血病の細胞が完全になくなっていますかということと、そのあと正常造血が回復していますかということとを併せて評価した指標になります。

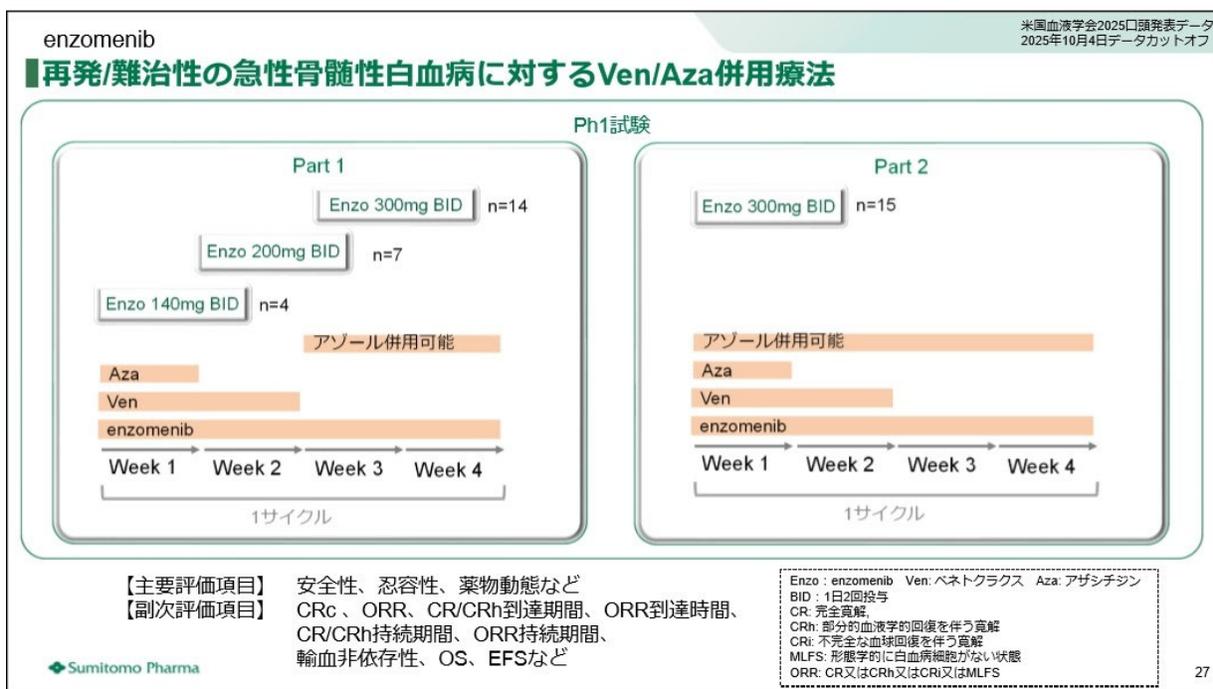
もう1個下ですね、失礼しました。CR+CRh rate です。

こちらの数字が40%とありますけれども、KMT2A再構成の非常に予後の悪い患者の中で40%の結果が得られた、特に再発/難治の患者で得られたということは、非常にわれわれにとって励みになる結果だなと考えています。

また、もう一つ、特徴というか、お伝えしたいところは、この Duration of CR/CRh でございます。白血病細胞がなくなってから、どれだけの期間、その状態が維持できるかという結果になるんですけども、これはまだ例数は少ないですけども、1年くらいこの状態を保つことができていることが確認できたということでございます。

一方、NPM1 変異ですけども、こちらは10月4日カットオフ時点では3用量を比較している段階でございます。その中ではCR+CRh rateが50%から37%ぐらい、Duration of CR/CRhは、評価期間は短いんですけども、5.7カ月で、こちらもそれなりにプロミッシングだなと考えているということでございます。

これらの結果をもとに、単剤でそれなりに手応えがあると考えておりまして、現在フェーズ2の試験で有効性を検証するというステージでございます。



もう一つご紹介したい enzomenib のデータですけども、こちらは初発のAMLに将来的に適応できるかを検証する前の段階としまして、再発/難治の白血病の患者さんを対象にして、ベネトク

ラクスとアザシチジンに対して、さらに enzomenib を併用するという 3 剤併用の試験で行った、フェーズ 1 の部分の結果になります。

この試験は Part 1 と Part 2 に分かれておりまして、ちょっと細かいんですけども、Part 1 は enzomenib の用量を 140 ミリグラムから 300 ミリグラムまで増量して忍容性を確認する、Part 2 は 300 ミリグラムの中でベースをためていって、レスポンスをしっかりと確認していくという流れでございます。

ベネトクラクスの薬物相互作用の観点で、アゾールの抗真菌剤の併用の期間が重ならないようにして、この 3 剤の安全性を確認している部分が Part 1、アゾールを併用した状態で 3 剤の併用を行ったことによって、有効性と安全性を評価するのが Part 2 という形のデザインになっております。安全性を配慮しながらステップワイズに行っているものでございます。

enzomenib			米国血液学会2025口頭発表データ 2025年10月4日データカットオフ		
安全性：Ven/Aza併用			再発/難治性の急性骨髄性白血病に対するVen/Aza併用療法		
併用下での忍容性を確認			enzomenib/Ven/Azaのいずれかと関連のある有害事象 (発現率が15%以上) n=40		
発現率が25%以上の有害事象 (n=40)			enzomenib/Ven/Azaのいずれかと関連のある有害事象 (発現率が15%以上) n=40		
事象名	全てのグレード	グレード3以上	事象名	全てのグレード	グレード3以上
HEMATOLOGIC					
血小板数減少	21 (52.5%)	18 (45.0%)	血小板数減少	18 (45.0%)	16 (40.0%)
白血球数減少	15 (37.5%)	14 (35.0%)	白血球数減少	14 (35.0%)	13 (32.5%)
好中球数減少	14 (35.0%)	14 (35.0%)	好中球数減少	12 (30.0%)	12 (30.0%)
貧血	10 (25.0%)	8 (20.0%)	貧血	9 (22.5%)	7 (17.5%)
発熱性好中球減少症	10 (25.0%)	9 (22.5%)	リンパ球減少症	6 (15.0%)	5 (12.5%)
NON-HEMATOLOGIC					
悪心	19 (47.5%)	0	悪心	10 (25.0%)	0
便秘	16 (40.0%)	0	下痢	8 (20.0%)	0
下痢	15 (37.5%)	0	AST上昇	6 (15.0%)	0
高リン血症	11 (27.5%)	0	便秘	6 (15.0%)	0
嘔吐	11 (27.5%)	1 (2.5%)			
関節痛	10 (25.0%)	1 (2.5%)			

こちらの結果が次のページになりますけれども、先ほどと同様に安全性の結果でございますけれども、今回は全症例というわけではなくて、併用で評価されている 40 例の患者さんを対象にした評価結果でございます。

いずれも enzomenib、ベネトクラクス/アザシチジンのいずれかと関連のある有害事象は、この程度発生しております。ベネトクラクス/アザシチジンで認められている有害事象に加えて、さらに上乗せされるような enzomenib の有害事象は認められておりませんし、治療関連死、それから投与中止に至るようなものも認められていないということで、3剤を併用することについても十分投与可能であることが確認できております。

enzomenib

有効性：Ven/Aza併用

再発/難治性AMLに対して良好な併用効果を確認

- ✓ 再発/難治性AMLでのORRは77%、Composite CR rateは50%と高い奏効率
- ✓ 用量群間で概ね一貫した効果が得られており、併用の有望性を示唆

米国血液学会2025口頭発表データ
2025年10月4日データカットオフ

再発/難治性の急性骨髄性白血病に対するVen/Aza併用療法

全体集団	140mg BID + Ven/Aza 100mg n=4	200mg BID + Ven/Aza 100mg n=6	300mg BID + Ven/Aza 100mg n=8	300mg BID + Ven/Aza 50-100mg n=8	合計 n=26
	アゾール非併用	アゾール非併用	アゾール非併用	アゾール併用	
Overall Response Rate (CR/CRh/CRi/MLFS)	100%	83%	62.5%	80%	77%
Composite CR rate (CR/CRh/CRi)	50%	50%	50%	50%	50%

BID：1日2回投与
CR：完全寛解
CRh：部分的血液学的回復を伴う寛解
CRi：不完全な血球回復を伴う寛解
MLFS：形態学的に白血病細胞がない状態

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 29

続きまして、その有効性です。

こちらは先ほどと同様に CR rate のところを見ていただければと思うのですが、全ての用量で約半分の患者さんが、白血病がなくなるというレスポンスを示しております。再発/難治であり、ベネトクラクス/アザシチジンで再発した患者さんも入っているような中で、50%の患者さんがレスポンスしているということは、非常に高い奏効率を確認できたと考えております。

これは非常に励みになりまして、今後はこの試験をもとに、フロントライン、初発の患者さんを対象にした試験のほうに進めようという形で、準備しているところでございます。

enzomenib

■選択的メニン阻害剤としてベストインクラスを目指すポテンシャル

- 急性白血病領域では、遺伝子変異に応じた治療薬が順次承認されているものの、依然として治療満足度は十分ではない
- **enzomenib**は、**単剤での有効性・忍容性に加え、Ven/Aza併用での良好な有効性と安全性が確認されており、ベストインクラスとなる可能性が示唆されている**
- 現在実施中の**検証的Ph2試験を加速し、KMT2A再構成またはNPM1変異を有する再発/難治性急性白血病**を対象とした日米での承認取得（上市目標：2027年度）を目指す
- また、単剤およびVen/Aza併用で得られた安全性・有効性プロファイルを生かし、**初発急性白血病（寛解導入療法、維持療法）への適応拡大や、急性白血病以外の疾患領域への展開**など、さらなる開発機会を追求していく

◆ Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 30

以上が enzomenib になりますけれども、これまでご説明した内容をまとめますと、急性白血病の領域は遺伝子変異に応じた治療薬が順次承認されてきているんですけれども、依然として治療満足度はまだ十分ではない疾患領域だと認識しております。

その中で、enzomenib は、単剤で特定の遺伝子変異の患者さんに対して有効性と忍容性があることを確認できつつありますし、ベネトクラクス/アザシチジンの併用でも有効性と安全性が認められてきておりますので、enzomenib はメニン阻害剤としてベストインクラスになる可能性があると思われるのは強く信じておるところでございます。

今後ですけれども、検証的なフェーズ2試験を加速しまして、再発/難治の急性白血病で、日本とアメリカでの承認取得を目指す。

さらに、先ほど申しましたような、ベネトクラクス/アザシチジン併用での初発急性白血病での治療での適応拡大、あるいは急性白血病以外に、メニンの分子ががんに関連しているような疾患がいくつかありますので、そういうところへの展開などを含めて、さらなる開発機会を追求して、enzomenib を普及させていけたらと考えています。

以上が enzomenib でございます。



The slide features a decorative header with a light teal background and a dark green geometric shape on the left. The main content is centered and includes the drug name, a table of key information, a definition of PIM, and the Sumitomo Pharma logo and copyright notice.

nuvisertib

作用機序	PIM1キナーゼ阻害
開発段階	フェーズ1/2
予定適応症	骨髄線維症 (MF)

PIM: Proto-oncogene proviral Integration site for Moloney murine leukemia virus

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 31

続きまして、nuvisertib に話を切り替えさせていただきたいと思います。

作用機序としましては、PIM1 と呼ばれるキナーゼに対する阻害剤でございます。現在フェーズ1/2 の試験の段階でございます。予定適応症としましては、同じ血液疾患の中でも骨髄線維症と呼ばれる疾患になります。

nuvisertib

骨髄線維症 (MF) の疾患背景

- ✓ 造血幹細胞の遺伝子変異により骨髄が線維化し、正常造血が阻害される血液がん
- ✓ 肝脾腫・全身倦怠感・骨痛・貧血・感染症など、**生活の質を大きく低下させる症状が進行性に出現**
- ✓ 多くの患者が貧血により定期的な輸血を必要とし、**高頻度で再発/難治性に進展**する

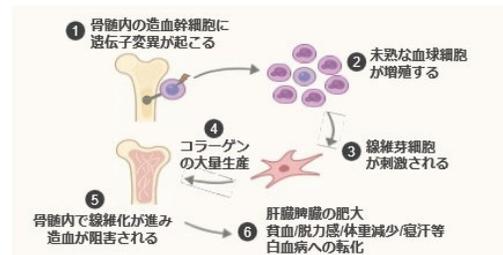
病態・症状

異常な造血幹細胞の増殖により、骨髄が線維化する血液がんの1種。正常の造血が行われず、肝臓や脾臓で髄外造血が起きる

- 肝脾腫
- 寝汗、倦怠感、骨痛などの全身症状
- 中等度から重度の貧血、出血、易感染症
- 約20%の患者は診断時に無症状

予後・転帰

- 貧血のために**定期的な輸血**が必要となる
- **高頻度で再発/難治性に進展**
- 白血病に移行することも
- 診断後の予後は米国：4-6年、日本：3-6年



	米国	日本
新規患者数/年*	約2,200人/年	約600人/年

* Global Data Epidemiology Database (2026)から概算

Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 32

最初は、骨髄線維症はどのような病気かということのご紹介からです。

こちら骨髄に起こる病気でございます。骨髄の中の造血幹細胞の中で、また別の遺伝子変異が起これまして、主には JAK2 の変異ですけれども、それに伴って未熟な血球細胞が増加して、骨髄自体にコラーゲンが大量にできて線維化してしまうということが起こります。

結果として、骨髄は造血に非常に重要な組織ですけれども、正常な造血ができなくなってしまうために、骨髄以外のところでの髄外造血が肝臓や脾臓で起こって、結果として肝臓や脾臓が腫れる症状が出たり、未熟な血球が増えるということで、正常な血球が少なくなることになりますので、貧血であったり、出血したときに血が止まらないであったり、感染症にかかりやすくなるみたいなことが起こって、病態が出てきます。

この患者さんは非常にレアでございます、アメリカで年間新たに 2,200 人、日本では 600 人ほどと非常に少ない患者さんではあるんですけれども、なかなか症状が分かりにくいこともありまして、約 20% の患者さんは診断のときに、そもそも症状がない状況です。中には健康診断で貧血として診断されて病期が分かるようなこともありますので、なかなか見つかりにくい病気です。

治療法としては、このあと簡単に紹介しますが、輸血などで貧血を改善することを行っていくんですけれども、徐々に難治化していきまして、最終的に白血病になる方もいらっしゃいます。この疫学データに基づきますと、米国では診断が確定してから4年から6年、日本では3年から6年の予後だといわれております。

nuvisertib

治療選択肢とアンメットメディカルニーズ

現在の標準治療はJAK阻害剤が中心
しかし、血小板数の少ない患者では使用可能な薬剤が限定、病態進行により2L/3Lへ移行してしまう
根本的治療は骨髄移植のみであり、新しい作用機序を持つ治療薬が強く求められている

1L (1次治療)

- ルキソリチニブ (JAK阻害剤) が最もよく使われる
- 血小板数が少ない患者は使用可能な薬剤が制限
- 投薬期間は約12か月
- 年齢や臓器機能が良好な患者では骨髄移植 (根治療法) も検討される

2L (2次治療)

- ~50%の1L患者が2Lへ移行 (1次治療の効果不十分、病態の進行)
- 1Lとは別のJAK阻害剤あるいは治験薬
- 投薬期間は6~9か月
- 薬剤治療が無効または効果不十分な場合や高リスクの遺伝子変異をもつ患者は骨髄移植が検討される

3L (難治性・進行例)

- ~23%の2L患者が3Lへ移行
- 投薬期間は~10か月
- 症状が悪化し、薬剤療法が効かない場合は支持療法 (輸血、栄養管理、感染予防) で生活の質を維持

血小板数 (×10⁹/L)

薬剤名	血小板数 (×10 ⁹ /L)
ルキソリチニブ*	~80
フェドラチニブ*	~60
パクリチニブ*	~40
モメロチニブ*	~20
nuvisertib	~10

* 上市済みのJAK阻害剤。モメロチニブは2023年にUS, EU, 2024年に日本で承認

現在、骨髄線維症の治療法としましては、2010年頃に承認されましたルキソリチニブという、原因の遺伝子であります JAK 阻害剤が標準的な治療となっております、これを使って治療を行うというのが主たる治療方針になります。

長らくルキソリチニブ以外の薬が承認されてこなかったこともありまして、副作用として血液毒性などがあるんですけれども、それにもかかわらず、とにかくルキソリチニブを使う以外の選択肢がない状況でしたが、最近、別の JAK 阻害剤が承認されてきて、少し治療選択肢が増えてきている状況でございます。

しかしながら、JAK 以外の作用機序を持った治療薬がないということもありまして、かつ JAK 阻害剤で貧血の患者さんは使いにくいという問題がありますので、こういうところにアンメットニー

ズがあると考えております。われわれの nuvisertib は、この治療薬としての価値があると信じているところでございます。

nuvisertib

nuvisertibの特徴

- **作用機序と薬剤コンセプト：**
 - nuvisertibは、PIM1キナーゼを阻害し、**JAK/STATに加え、MFの病態形成に関わるNF-Kbなど複数経路に作用。**
 - 非臨床モデルでは、脾臓縮小、骨髓線維化改善、生存期間延長など有望な結果を確認
- **ユニークポイント**
 - **JAK阻害剤とは異なる作用経路**を持ち、併用療法としての潜在性が高い
 - PIM1に対する選択性が高く、**血液毒性リスクの低減が期待**される
 - Ph1/2試験では、単剤においても**脾臓縮小や全身症状スコア（TSS）の改善**が確認されている

薬剤コンセプト：PIM1阻害剤

単剤による脾臓縮小および全身症状スコア（TSS）改善（ASH2025）

Best Changes in Spleen Volume at Any Time (n=20)
720mg BID SVR25: 20% (4/20)

Best Changes in TSS at Any Time (n=20)
720mg BID TSS50: 9/20 (45%)

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 34

nuvisertib ですが、冒頭申しましたように、PIM1の阻害剤です。PIM1はどのようなものかと言いますと、骨髓線維症の発症の原因となっておりますJAKのシグナル伝達経路の下流の中に位置するタンパク質でございます。JAKのシグナルがいくつか枝分かれして行って、その中の一つが線維化につながっているんですけども、PIM1はその線維化のところに特に関係が深い因子でございます。

これは、非臨床のノックアウトマウスの実験等で確認されているようなものでございます。PIM1の阻害剤として期待されているのが、JAK阻害剤で出てくるような幅広い阻害作用ではなく、選択的に線維化のところを止めにいくことができるんじゃないかと考えられています。

また、PIM1に影響を及ぼす因子として、JAK以外にもNF-Kbといった炎症に関わるようなシグナルもありますので、JAK阻害剤では得られないような効果も一部、期待できるのではないかと思います。メカニズム的には期待されているところでございます。

33

右側は、アメリカの血液学会で発表させていただきました、単剤による臨床効果の結果でございます。左側が、脾臓の縮小効果を見ております。骨髓線維症の患者さんの一つの病気の症状として出てくる、脾臓が大きくなることがあるんですけども、それが単剤でどれだけ小さくなるかを評価したもので、ある一定以上の患者さんに対して、脾臓の縮小効果が単剤で認められていることを確認しています。

また、右側は、先ほど申しましたように、骨髓線維症に伴ってさまざまな症状が出てくるんですけども、その症状がどの程度改善しているのかを示したものです。これも多くの患者さんで50%以上スコアが改善する形で、臨床症状の改善という効果が認められてきています。

nuvisertib
米国血液学会2025口頭発表データ
2025年10月15日データカットオフ

■再発/難治性の骨髓線維症に対するモメロチニブ併用療法

Ph1/2試験

<患者登録基準>

- ・ DIPSSリスク Int-1,2,High
- ・ Hb<10 g/dL
- ・ 血小板>=5万

Nuvi 720mg BID +
MMB 200 mg

Nuvi 480mg BID +
MMB 200 mg

Nuvi 360mg BID +
MMB 200 mg

Nuvi 240mg BID +
MMB 200 mg

【主要評価項目】 安全性、忍容性

【副次評価項目】 脾臓縮小効果
全身症状スコア
全生存期間
骨髓線維化スコア
薬物動態

Nuvi : nuvisertib
MMB : モメロチニブ
BID : 1日2回投与
DIPSS : Dynamic International Prognostic Scoring System、骨髓線維症の予後を動的に評価する国際スコア
Int-1 : Intermediate-1 (中間リスク1) Int-2 : Intermediate-2 (中間リスク2) High : High risk (高リスク)
Hb : ヘモグロビン

Sumitomo Pharma
© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 35

こういった中で、nuvisertibの特徴を最大限に活かすことも考えまして、JAK 阻害剤の中で比較的血小板の減少に対しても使いやすいモメロチニブがありますので、これとの併用でわれわれの剤の特徴が活かさないかと考えまして、再発/難治の骨髓線維症の患者さんを対象に、モメロチニブ併用の試験をフェーズ 1/2 の試験として行っております。

フェーズ1ということですので、まずは忍容性を確認する目的で、モメロチニブが承認されている200ミリグラムの用量に、nuvisertibを240から720ミリグラムまで、1日2回投与という形で併用して、安全性と忍容性を確認すると。

併せて、副次評価項目としまして、脾臓に対する効果であったり、全身症状のスコアであったり、全生存期間みたいなものを確認する試験でございます。

nuvisertib

安全性：モメロチニブ併用

併用下での忍容性を確認

- ✓ 安全性評価対象18例のうち、DLTは**360mg BIDで1例のみ**（輸血を伴う血小板減少）
- ✓ 全体として、**モメロチニブとの併用は概ね良好な忍容性を期待**
- ✓ 主な有害事象はGrade1-2の消化器症状（下痢、悪心、嘔吐等）で管理可能

米国血液学会2025口頭発表データ
2025年10月15日データカットオフ

再発/難治性の骨髄線維症に対するモメロチニブ併用療法

用量制限毒性の発現状況 (n=18)

nuvisertib + モメロチニブ 200mg 1日1回	n=18	用量制限毒性
240mg BID	4	0
360mg BID	8	1 (血小板数減少)
480mg BID	5	0
720mg BID	1	0

BID：1日2回投与

発現率が20%以上の有害事象 (n=18)

事象名	グレード1	グレード2	グレード3
下痢	10 (55.6%)	4 (22.2%)	0
悪心	7 (38.9%)	2 (11.1%)	1 (5.6%)
嘔吐	3 (16.7%)	2 (11.1%)	1 (5.6%)
疲労	0	4 (22.2%)	0
血中クレアチン増加	2 (11.1%)	2 (11.1%)	0
食欲減退	1 (5.6%)	3 (16.7%)	0
尿路感染症	0	4 (22.2%)	0
血小板数減少	0	2 (11.1%)	2 (11.1%)

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 36

まず安全性に関する結果ですけれども、ここには投与して評価可能な18例の患者さんのデータが出ております。DLTが1名ここで出ておりますけれども、基本的に忍容性は高いと考えております。

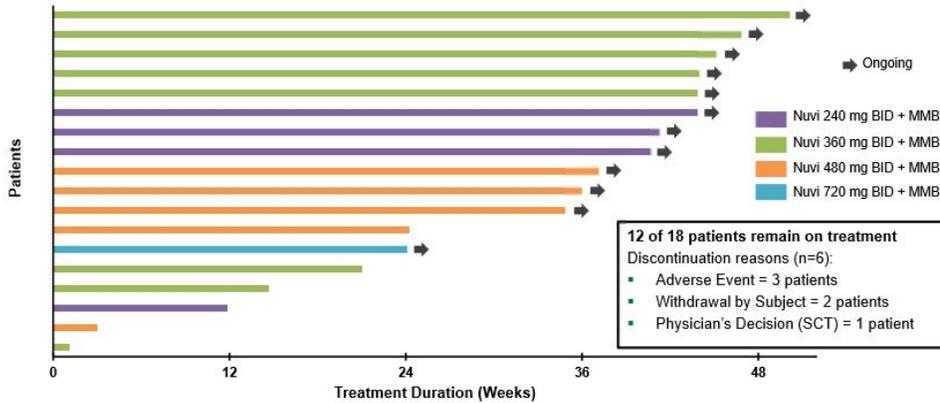
有害事象が認められているものも、グレード1、グレード2ということで、比較的軽度でありまして、モメロチニブとの併用に対して問題点はないと考えております。

安全性：モメロチニブ併用

再発/難治性の骨髄線維症に対するモメロチニブ併用療法

併用下での長期安全性を確認

- ✓ 24週までの治療中止率は28%で、モメロチニブ単剤のPh3試験と同水準
- ✓ 安全性に起因する中止率の増加は認められず、**長期併用が可能な安全性プロファイル**を示した



こちらは、長期間に投与できたのかを確認している試験の結果でございます。

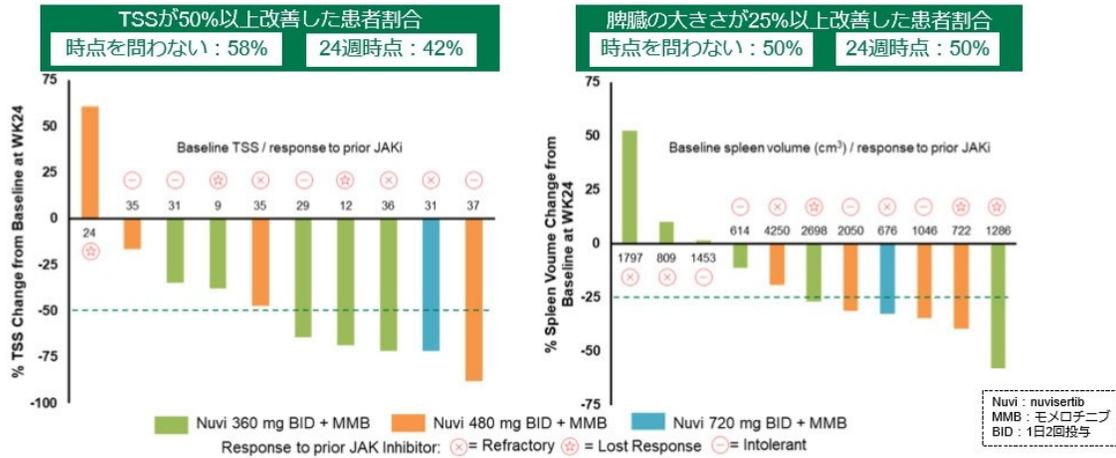
横軸が投与期間でございます。24週、この辺りまで投与できている患者さんが多数で、中止率は28%です。モメロチニブ単剤のMOMENTUM試験というフェーズ3試験があるんですけども、この試験と比べても中止率が特に大きくなっているわけではなく、併用によって安全性が損なわれることもないということも確認できました。

■有効性：モメロチニブ併用

再発/難治性の骨髄線維症に対するモメロチニブ併用療法

全身症状スコア（TSS）および脾臓容積の改善を確認

✓ JAK阻害剤に反応しなかった患者や貧血を有するリスクの高い患者でも、TSSと脾臓容積の両方で改善を確認



※有効性評価症例（360 mg BID以上を投与した24週以上経過もしくはは治験薬による有害事象または病勢進行により中止した患者12名）

こちらは、併用下での有効性を評価したものでございます。

左が全身症状の改善、右が脾臓の大きさに対する作用でございます。赤でいろいろ印を書いています。この試験の対象患者さんは再発の患者さんですけれども、JAK 阻害剤を使っても、1度反応して再発したか、あるいは1回目でそもそも効かなかった患者さん、あるいは副作用の点で投与ができなかった患者さんにこの試験に参加していただいています。

全身症状の改善であったり、脾臓の縮小といった効果も併用によって確認できておりました、併用による優れた薬効が確認できたと考えています。

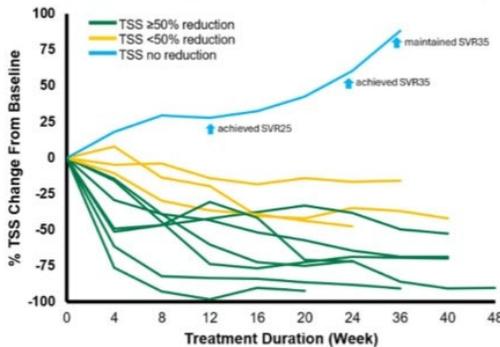
■有効性：モメロチニブ併用

再発/難治性の骨髄線維症に対するモメロチニブ併用療法

投与初期からの持続的なTSSの改善を確認

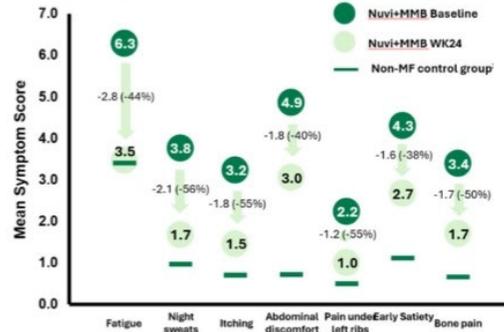
- ✓ 投与開始4週時点からTSSの改善が見られ、効果は長期的に持続
- ✓ 特に疲労スコアは顕著に改善し、健常人レベルに近い改善を示す症例も確認

速やかかつ継続的なTSS改善*1



*1 有効性評価症例：360 mg BID以上を投与した24週以上経過もしくはは治療薬による有害事象または病勢進行により中止した患者12名

TSSを構成する個々の項目スコアが改善*2



*2 評価対象患者：ベースラインおよび24週時点の症状データの両方が揃っている患者10名 (評価可能用量 = nuvisertib 360 mg を1日2回以上 + momelotinib 200 mg を1日1回)

こちらは、少しスコアの推移を経時的に見たものと、どういうスコアが変化しているのかをより詳細に表したものです。

ここでお伝えしたいのは、主要のスコアの改善を、比較的速く、速やかに反応して、それが長く持続していることが言えるということと、全身スコアの改善も、単にちょっと数字を改善したのではなくて、健康な人が示すようなスコアのレベルまで、この横棒で書いているのが健康な方のスコアですけれども、そこまで改善していくような反応が、特定のスコアだけではなくて幅広いスコアで認められていることもありまして、この併用による効果が、単なる1点だけ治すのではなくて、全体的に改善していく効果があると認識しております。

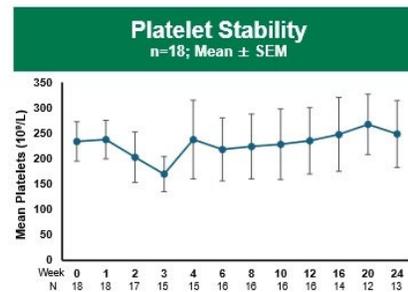
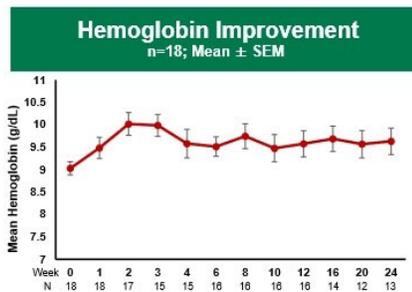
nuvisertib

米国血液学会2025口頭発表データ
2025年10月15日データカットオフ

■モメロチニブ併用下で貧血改善効果を確認

再発/難治性の骨髄線維症に対するモメロチニブ併用療法

- ✓ ヘモグロビン値および血小板数はnuvisertibとモメロチニブ併用時においても安定した推移を示した
- ✓ 評価対象16名中9名（56%）で貧血の改善を確認
 - ✓ Major Response 3名（輸血なしで12週以上、Hbが1.5g/dL以上改善）
 - ✓ Minor Response 6名（輸血依存例：輸血頻度が50%以上減少、輸血非依存例：12週以上輸血なしでHbが1.0 g/dL以上改善）
- ✓ JAK阻害剤治療歴を有する患者や、貧血リスクの高い患者層においても改善効果が認められ、nuvisertibの併用療法としての有望性を示唆する結果となった



Sumitomo Pharma

© Sumitomo Pharma Co., Ltd. All Rights Reserved. 40

こちらは最後のデータになりますけれども、モメロチニブ併用で貧血の効果がどうなっているのかを見ています。

ヘモグロビンの値であったり血小板の値が併用によって下がることもなく、安定して推移していることを確認できております。

また、中には、もともと輸血が必要だった患者さんが、輸血が不要になるというような、貧血の症状が劇的に改善した患者さんが3名いらっしゃったということであったり、こちらの6名の方でも、輸血の頻度を半分以下にすることができたことを確認できております。

患者さんのQOLにとっても、貧血の改善は非常に大きな点だと思っておりますので、こういうところについても改善効果が認められているということで、nuvisertibの併用療法としての可能性も有望だと考えております。

nuvisertib

■PIM1阻害剤のファーストインクラスとなるポテンシャル

- JAK阻害剤が標準治療となるMFにおいて、異なる作用機序を有する治療選択肢は極めて限定的
- nuvisertib は、
 - 単剤およびモメロチニブ併用で忍容性・有効性を確認
 - JAK阻害剤治療歴がある患者でも効果を示す
- これらのデータを踏まえ、承認申請の根拠とする検証的なP3試験を2026年度中に開始予定（上市目標：2028年度）
- さらに、MF以外の疾患領域への展開を視野に、新規作用機序としての価値最大化を図る

以上をまとめますと、PIM1 阻害剤として世の中で承認された薬はございません。今、われわれがこの結果を今後進めるような試験で、承認まで至ることができれば、ファーストインクラスというポテンシャルを示すことができるのではないかと考えております。

骨髄線維症の患者さんにおきましては、異なる作用機序持っている治療選択肢を提供することができますので、その点で非常に大きな貢献ができるだろうと考えております。

nuvisertib は、先ほどご紹介したとおり、単剤あるいはモメロチニブの併用で忍容性・有効性を確認できつつありますので、これらのデータを踏まえまして、承認申請の根拠となる検証的なフェーズ3 試験を今年度中に開始して、いち早く上市を目指すことを計画しております。

今回は骨髄線維症という疾患での話をさせていただきましたけれども、作用機序として線維化がキーとなりますので、骨髄線維症以外の疾患も十分狙っていけるだろうと考えておりますので、PIM1 のバイオロジーに合わせて、新規作用機序としての価値最大化を図っていきたいと考えております。

■がん領域の拡大戦略

- ✓ 自社製品・パイプライン・技術基盤を活用、パイプライン強化と次世代薬剤創出の双方を推進
- ✓ 加えて、新規標的・技術基盤の探索を継続し、持続的な成長を実現する研究開発体制を構築する

自社製品を活かす

ORGOVYX®を起点とした次世代薬剤創出 ▶ 前立腺がん領域の連続性強化

Tier
01

自社パイプラインを活かす

enzomenib・nuvisertibの適応取得・適応拡大 ▶ 造血器腫瘍パイプラインの拡充

Tier
02

自社技術基盤（Liposomal Nanomedicine）を活かす

SMP-3124の開発推進
・ 技術基盤の検証
・ 内包化合物の標的の検証 ▶ 「技術基盤」「標的」両面からの展開

Tier
03

最後のスライドになります。

がん領域の拡大戦略としまして、本日は Tier 02 にあります「自社パイプラインを活かす」ということをご紹介させていただきましたけれども、ほかにも Tier 01、Tier 03 の活動もありますので、今後ともオンコロジーの R&D をしっかりと進めていきたいと思っております。

どうもありがとうございました。

木野：村田さん、ありがとうございました。

質疑応答

木野 [M]：では、これより、アナリスト、投資家の皆様からの質疑応答に移りたいと存じます。

質疑応答の時間は、15 時 20 分までとさせていただきます。

では、モルガン・スタンレー証券、村岡様、よろしくお願いいたします。

村岡 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレー、村岡です。

まずは、enzomenib です。すみません、基礎的なことの理解が足りないの、そういう質問で申し訳ないんですけども、併用療法の考え方で、Ven/Aza との併用がメインだというのはなんとなくお話から分かったのですが、7 プラス 3 療法とは、この併用はあまり目指すべきではない、もしくはあまり相性が悪いものなんでしょうか。

村田 [A]：村田から回答させていただきます。

7 足す 3 は、引き続き高強度の化学療法として患者さんに使われる環境は続くと思っておりますので、7 足す 3 の治療法に加えて enzomenib を併用したときにどういう効果がさらに期待できるのかは、今後も検証していく必要があると思っております。

村岡 [Q]：つまり、enzomenib も、7 足す 3 との併用もやっていくということですよね。このスライドの書き方、Ven/Aza を中心にイメージされていると思ったんですけども。

村田 [A]：少し背景を追加させていただきますと、ベネトクラクス/アザシチジンの併用が 7 足す 3 に対してどれだけ患者にとってメリットがあるのかを、先生方がいろいろな検証をされているところでございまして、昨年の ASH、米国血液学会においても、その一部の結果が発表されているというところであります。

今後エビデンスが蓄積していったあかつきには、もしかするとベネトクラクス/アザシチジンが全体の標準治療になっていく可能性はあるんだろうと思っております。ただ、いきなり、明日変わるとかという話でもなくて、7 足す 3 の治療法は 40 年以上にわたってしっかり確立されているもので、もちろん危険なところもあるんですけども、確立されている治療法なので、それがすぐになくなることはないだろうと思っております。

その中で enzomenib をどのように使うことができるのかというのは、われわれとしてもそこは検証して、データをお示しして、使えることができるのであれば、そこも訴求していくということは必要なことだと考えております。

村岡 [Q]：ありがとうございます。

もう一つ、nuvisertib ですけれども、R&D ミーティングというよりは少しビジネス寄りな質問になってしまうかもしれないんですが、モメロチニブとの組み合わせがこれだけうまく進んでくると。将来パートナーする相手が GSK なのかなと、多分、多くの人は思っていると思うのですが、ジャカビがやはりスタンダード・オブ・ケアである、そしてこれが 28 年から 29 年に特許が切れてくると考えたら、モメロチニブ併用だけやるのでは、この薬のポテンシャルが引き出しきれないのかなと。ルキシロチニブ併用も意識しなきゃいけない、でももし GSK と組むんだったらそうもいかないよねみたいな、そのように想像してしまうんですけれども、その考え方はうがった見方でしょうか。

村田 [A]：村田から引き続き回答させていただきます。

ルキシロチニブとの併用につきましても、現在フェーズ 1 の試験という形で、忍容性を確認するところは進めておりますので、ルキシロチニブとの併用ではどういう使い方ができるのかということ、今後のデータを蓄積していったあとで、進め方については考えていきたいと思っています。

佐藤 [A]：パートナーにつきまして、GSK さんだけが対象ということでは特にございませぬ。

村岡 [Q]：すみません。GSK に決めるというような質問をしたので、ちょっとよくなかったんですけれども、ルキシロチニブの併用は、28 年、29 年ぐらいのルキシロチニブがジェネリックになったときのことを考えたら、ルキシロチニブ併用はやっておかないと、この剤、nuvisertib のポテンシャルをフルに出せないよねという考え方は間違っていますでしょうか。

村田 [A]：非常に鋭い指摘だと思っております。やはり長年、本当にゴールドスタンダードという位置づけでルキシロチニブは使われておりますので、実臨床の先生方も非常に経験豊富ですし、どのように薬を使っていったらいいのかというのが、本当によく使われているようなお薬ですので、そういうところに併用できるのかというのは非常に大きなポイントだと思っております。

一方で、こちらをお示ししましたスライドの中に、ルキシロチニブ、血液毒性のために血小板の数が少ない患者さんが使えない問題がありまして、この疾患そのものが、血小板が少なくなっていく、貧血を起こす疾患であることを考えると、幅広く使えるモメロチニブが、もしかすると今後、標準的になってくるかもしれないと期待はしております。

そういう点で、われわれはモメロチニブとの併用もいち早く取り組んだという経緯でございます。別にルキシロチニブの可能性を否定しているつもりはないんですけれども、今回初めてモメロチニブとの併用のデータを示すことができましたので、われわれとしてもそれが、非常に価値があると考えて、米国の血液学会で発表させていただいたという経緯でございます。

村岡 [Q]：ありがとうございます。

もう1個だけ、スライドの10枚目、がん領域の拡大戦略のTier 01、02、03というチャートですけども、Tier 01のところですね。ORGOVYXの延長線上での前立腺がん領域の連続性強化、この言葉の意味がいまひとつよく分からないんですが、前立腺がんの領域の薬は御社のパイプライン表にあまり見当たらないのですが、何を意味していらっしゃるのでしょうか。

佐藤 [A]：確かにパイプライン表は、臨床入りしたものをパイプライン表に載せております。ここで意味したものは、ORGOVYXのビジネス期間が続いている間に、その後継となるようなパイプラインを世に出していきたいというつもりで活動しておりますというご説明でございます。

通常のご説明の機会では、臨床入りしていない化合物のことまで、まだ不確実な要素もありますので、あまりご説明差し上げていないんですけれども、今回は踏み込みまして、そういう活動しておりますということについてご説明させていただきました。

村岡 [Q]：ありがとうございます。

つまり、今後、固形がんの前立腺がんのところでも、何か面白いお話がいくつか説明会のときに聞けるようになるという期待を持っていていいということですね。

佐藤 [A]：はい。できるように進めてまいりたいと思っております。

村岡 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

木野 [M]：ありがとうございました。

では続きまして、JP モルガン証券、若尾様、よろしくお願いたします。

若尾 [Q]：JP モルガンの若尾です。

一つ目がenzomenibについてです。ASHで発表された併用のデータについて、御社のご見解を教えてください。安全性とか競合品との比較をした上で、このデータが、競争優位性があるものになっているのかどうかというところの評価を知りたいです。モノセラピーのデータは、これまで出されたものは割とziftomenibと比べても非常に良いデータだったと思っていたんですが、一方で、enzomenibの再発/難治のデータ、Ven/Azaのデータに関しては、有効性に関しては、症

例数もそこまで大きくないので、なかなか Apple to Apple で比べにくいところはあるのですが、ziftomenib と同じような水準かなと思う一方で、私の理解が正しければ、QT 延長も出ていて、安全性の面で大丈夫なのかなと思っています。この併用療法に関して、今、御社はこのデータをどう評価されていますか。

村田 [A]：ご質問ありがとうございます。

併用のデータを Apple to Apple で比較するのはなかなか難しいというところがございます。われわれが併用している試験の対象の患者さんが再発/難治の患者さんということもありまして、もともと反応をなかなか見づらいような患者さんの中で、しかもベネトクラクス/アザシチジンと enzomenib、3 剤併用しなければいけないというところがございます。そういう点で、50%ぐらいの CR 率ということで、ほかと比べてどうなのかというところは出てくるかと思えます。

今、NPM1 と KMT2A、両方まとめて 50%ですけれども、この辺はもう少しそれぞれの患者さんのデータを蓄積していかないと、どれだけ差があるのかというのは明確にはお答えできないかなと思うんですけれども、今の時点では他社に比べて著しく劣るとは思っていないところと、今後のデータによっては十分これは勝ち目もあるというか、競争力はきちんとあるんじゃないかと期待しております。

心毒性の懸念につきましては、その点については、再発の患者さんということもあって、そのところは今後慎重に評価していく必要があると思えます。最終的にベネトクラクス/アザシチジンと併用していくときの対象の患者さんとしましては、初発の患者さんを想定しておりまして、その点で、初発の患者さんでどれだけ忍容性があるのかというのは今後検証しながら、この辺りはしっかり見極めていきたいと思っております。

若尾 [Q]：ziftomenib、他社の製品では QT 延長が同じような患者層で、Ven/Aza のデータで出ていなかったと思うんですけれども、QT 延長が御社の場合ですと出ているのですが、ここは他社と比べた際に劣後する部分と見なくてもいいんですか。

村田 [A]：まず一つは、QT 延長の患者さんに関しましては、グレード 3 以上の事象ではないことと、最終的な評価としましては、enzomenib との関連はないという判定でございました。ただ、実際には QT 延長という事象自体は確認されていますので、それは発表の中にはきちんと報告させていただいておりますけれども、そういう点で enzomenib によって著しく QT 延長が増加しているとは考えていないということでございます。

若尾 [Q]：分かりました。引き続き、安全性においてもベストインクラスになるかもしれないと見ていらっしゃるということで理解しました。

次に、nuvisertib に関して教えていただきたいです。nuvisertib は、モノセラピーのデータを見ますと、タイムポイントがほかの薬剤のデータと比べにくいので、モノセラピーの有効性についてはいまいよく分からないんです。一方で、併用に関しては、きちんと上乗せ効果のようなものが見えているので、併用する意味は分かって、あると思います。

お伺いしたいこととしては、この薬剤に関しては、なかなかモノセラピーでは、そんなにベストインクラスというほどのものではなくて、メカニズムがほかと違うので、併用することで価値が顕在化するような薬剤であると見ておいたほうがよいですか。

村田 [A]：単剤の結果をどう評価されているかというご質問と受け止めますと、再発/難治の患者さんを対象にして試験を行っている中で、全身症状の改善であったり、脾臓の縮小効果が決して悪いとは思っておりません。単剤としてこの剤のポテンシャルは、われわれとしましては非常に期待しているというか、しっかり可能性はあると考えております。

開発の戦略としてどういう位置づけなのかということで、モメロチニブとの併用は今日ご紹介したとおりでございます。併用することによる上乗せの効果であったり、併用効果が認められつつあると受け止めておりますので、これは一つの狙い目だと考えております。

単剤も同様に、再発、特に治療法がないような、ルキソリチニブだけではなくて、ほかの JAK の阻害剤も使って、治療の選択肢がない患者さんにとっては、アンメットメディカルニーズは引き続きあります。こういうところに単剤として使っていただくことができるのかについては関心がありますので、ここについても今の時点では検討しているところでございます。

若尾 [Q]：分かりました。

モノセラピーのデータが、ほかとタイムポイントが違うのでよく分からないんですけれども、御社の感触としては、モノセラピーでも有効性がしっかり出ていて、モノセラピーでも十分戦っていけるデータが蓄積しつつあると見ていらっしゃるんですか。

村田 [A]：はい。そのとおりです。

若尾 [Q]：分かりました。ありがとうございます。

もう一つ伺いたいのが、今、提携活動をされている中で、価値を高めるためにさらにデータを蓄積されていくということですが、それぞれの薬剤において、こういったデータがさらに蓄積されると、価値が高まるんですか。

enzomenib ですと併用のデータがまだ少ないので、併用のデータが蓄積していったら、ファーストラインの可能性を示せるようなものになってくれば、より価値が上がるのかなと思いますし、

nuvisertib はどちらかというところ、モメロチニブとの併用のデータがさらに積み上がれば併用薬としての価値が高まるので、その辺りのデータを蓄積していくことが重要なのかなと思ったんですけども、この点はいかがでしょうか。

佐藤 [A]：佐藤からお答えします。

ほぼご理解のとおりでございますけれども、enzomenib につきましては、KMT2A、単剤のフェーズ 2 試験の結果がまとまらないと、こちらは共有できませんけれども、まとまってくるタイミング、あるいは初発 AML の併用のデータが出てくるタイミングと考えています。

nuvisertib の場合については、おっしゃるように、モメロチニブとの併用のデータがもうちょっと積まれてくるタイミング、あるいはフェーズ 3 試験について具体的なデザインが決まる、あるいは着手するといったようなタイミングかと思っています。

若尾 [Q]：分かりました。

もう 1 個だけ教えていただきたいです。割とこの薬剤は KMT2A にもよく効くような気がするんですけども、メカニズム的に効きやすいというのがあるんですか。メカニズムというか、ほかとも一緒だと思うんですけども、ほかは、KMT2A は反応が良くなかったと思うんですけども、こちらの反応が良い理由は何があるんでしょうか。

村田 [A]：メカニズム的に何が違うのかというところは研究チームがずっと課題として取り組んでおるんですけども、おっしゃるとおり、KMT2A 再構成の患者さんの CR 率は、他社さんの結果と比べますと非常に高いと考えております。

一つは、おそらく忍容性の問題とかもあって、しっかり投与ができているということがあるんじゃないかなと考えておりますけれども、具体的に薬理メカニズム上、例えば KMT2A の分子のここにくっつくから、これがよく効くんだとか、そういうところまではまだ分かっていないところです。

若尾 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

木野 [M]：ありがとうございました。

それでは続きまして、大和証券、橋口様、よろしくお願いたします。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。よろしくお願いたします。

佐藤さん、村田さん、それぞれに、今後のパイプラインの厚みがどういうペースで、どれくらい充実してくるとわれわれが期待しているかという観点で質問させていただきたいです。

今の経営状態で、それぞれのプロジェクトに充てられるリソースがある程度制約されていることが、このパイプラインの状態、プロジェクトの取り組みの状況にどう影響していて、今後そうした制約が売上、利益の拡大によって緩和されていったときに、どういった取り組みを今後増やしていきたいとお考えかをお聞かせいただければと思います。

佐藤さんのプレゼンの中で、アーリーのものが多いけれども後期がないとおっしゃいましたが、今後開発が順調に進んでいった場合に、どういう部分のプロジェクトを増やしていきたいのか。後期に進んでいった場合に、完全に導出してしまって、次のプロジェクトを進めていくというやり方もあるんじゃないかと思います。16 ページのスライドだと、提携先による事業化は小さくしか書かれていなくて、あまり重視されていないように感じたんですけれども、ここからさらに前臨床の段階からものが上がってきたときに、さらに後期も進めていって、パイプラインを増やしていくことは可能なのか。リソースの観点と、プロジェクトが後ろにどれだけたまっているのかをお聞かせいただければと思います。

村田さんにお尋ねしたいのは、特に enzomenib でして、メンテナンスが症状的にはとても重要だと思うのですが、この開発をどのタイミングで、どういった形で始められるのか。ベネトクラクス / アザシチジンとの併用だけでは、さまざまな患者背景、治療歴のある患者さんに必ずしも応えられない可能性があると思うんですけれども、ほかの既存薬の併用の開発をどういうペースで拡大させていくのかについて、もう少しお聞かせいただければと思います。

佐藤 [A]：ご質問ありがとうございました。佐藤からまずご説明させていただきます。

ご存じのとおり、23 年度、24 年度、25 年度と、研究開発費を大きく削減しながら進めてきているところでございます。26 年度についても、一定、今年度よりは増やしていく予定ですが、潤沢というわけではございません。

これが増えてきたときにどうなっていくかについて言うと、CNS の領域につきましても、オンコロジーにつきましても、今、研究後期、それから 26 年度、27 年度に臨床入りできるものが複数育ってきていますので、こちらの臨床移行、そして初期開発を進めることをできるだけしたいと思っています。この中から初期開発、安全性が確認され、患者さんのシグナルがとれてきたものについて、次のことを考えていきたいと思っています。

もう一つ、導出をすることはないのかというご質問がございましたけれども、こちらについては現時点で確実にこうと決めていることはございません。まずは、特に CNS は一定の安全性の確認と有効性のシグナルを確認することをした上で、どうするかということになると思います。

もちろん導出も選択肢ですけれども、共同開発あるいは自社で進める、全ての選択肢があると思っております。そのときの当社の全体のパイプラインの状況、それから開発の予算といったものを勘案しながら、社内で相談して決めていくと認識しています。

村田 [A]：enzomenib のご質問に関してですけれども、まず一つ目が、確かメンテナンスをどのように開発していくのかということかと思っております。

現在行っております再発/難治の試験のフェーズ 1、用量漸増試験であったり、ドーズオプティマイゼーションのところの試験の中で、移植に移行されている患者さんがいらっしゃいます。治療が終わったあと CR に到達して、機会があつて移植に移行されている患者さんがいらっしゃるんですけれども、その患者さんが引き続き enzomenib の投与に協力いただいている患者さんもいらっしゃいます。その中で、メンテナンスの中での投与量をどのように設定しているのかというところの検討は、今、既にスタートしているところでございます。

あと、昨年の米国の血液学会であったり、ヨーロッパの血液学会で発表させていただいたことによって、多くのアカデミアの先生方が非常に興味を持っていただきまして、そういう先生方からお声がけをいただいております。その中のアカデミアのネットワークを使いながら、エビデンスを蓄積していくことも取り組んでまいります。

米国の国立がん研究所というんですか、National Cancer Institute と提携もしております、enzomenib をどういう疾患に使っていくのかを、アメリカの研究機関と共に探していくアプローチを行っておりますので、非常にいろいろな機会が今後出てくると期待しております。

橋口 [Q]：ありがとうございます。

ベネトクラクス/アザシチジンとの併用以外の併用療法の開発については、それも同じような考え方という理解でよろしいでしょうか。

村田 [A]：はい、そうです。具体的に、例えば何とか剤との併用をやりたいんだけども enzomenib と一緒にやりませんかというお声かけは、いくつか先生方からいただいております。そういう点で関心を持っていただけていることも手応えだと思っておりますし、ベネトクラクス/アザシチジン以外の併用の可能性はそういうネットワークを使いながら、うまいことエビデンスを蓄積していったら、今後の開発の機会は広がっていきたくて考えております。

橋口 [M]：よく分かりました。ありがとうございます。以上です。

木野 [M]：ありがとうございました。

ほかに、アナリスト、投資家の皆様からのご質問はございませんでしょうか。

では、日興証券、和田様、よろしくお願いたします。

和田 [Q]：SMBC 日興証券、和田です。ありがとうございます。

私は、リポソーム製剤の SMP-3124 のプラットフォーム性、横展開の可能性についてお伺いしたいです。御社のこのリポソーム技術、既にリポソームは承認されている薬もいくつかあると思っっているんですけども、他社の技術に対する差別化のなんらかの技術はあるのでしょうか。

あと、いろいろながん種で今フェーズ 1/2 をされているというのは認識しているんですけども、がん種ごとに設計を変えなければいけない可能性とか、横展開していくときのボトルネックになりそうなところがどこにあるとお考えかお伺いしたいんですけども、いかがでしょうか。

佐藤 [A]：ご質問ありがとうございます。

1 点目ですけども、弊社の独自性といいますか、今後パイプラインを増やしていくにあたっての当社の独自性についてですけども、確かに Liposomal Nanomedicine そのものは、当社既知のものも活用しておりますけれども、個別の品目を作るときにどういうリポソームを作るかという部分については、非常にノウハウのかたまりでございまして、非常に技術的に独自性があると考えております。

また、例えば SMP-3124 について、がん種ごとに変えていくのかという点については、現時点では変えていく予定にはしておりません。

和田 [Q]：このフェーズ 1/2 のデータは、いつ頃開示が、安全性とか初期のデータは一応 28 年 12 月となっているんですけども、それよりも早く結果が出てきたりするのでしょうか。

佐藤 [A]：28 年よりは前に学会発表で、少しずつデータが出ていく予定にはなっていますけれども、学会は血液学会ではなく、別の固形がんの学会になっていくと思いますので、現時点で採択されて決まっているものがあるわけではないです。

和田 [M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

佐藤 [M]：ありがとうございます。

木野 [M]：ありがとうございました。

ほかにご質問がございませんので、アナリスト、投資家の皆様からの質疑応答を終了とさせていただきます。

では、以降は記者の皆様からの質疑応答になりますので、アナリスト、投資家の皆様はご退室いただいて問題ございません。

お待たせいたしました。次に、記者の皆様からの質疑応答に移りたいと存じます。質疑応答は、15時40分までをめどとさせていただきます。

最初に、大阪本社会場にてご参加いただいている報道関係者の皆様で、ご質問のある方は挙手をお願いできればと存じます。

では、奥の男性の方、よろしくお願いします。

トミヤマ [Q]：読売新聞のトミヤマです。冒頭、木村社長からも言及がありましたけれども、アムシェプリに関連して3点、伺いたいと思います。

佐藤常務から説明があったように、資料にも記載がありますけれども、FY2025、本年度の実用化、これは書いてあるとおり、条件・期限付承認の取得ということだと思います。19日の結果を踏まえて、また改めて確認させていただくことにはなるとは思いますけれども、上市については現時点の目標はどうかをまず教えてください。

木村 [A]：ご質問ありがとうございます。木村からご説明させていただきます。

まず上市ですけれども、まず今、審査がなされる予定が発表されただけなので、あまり前向きなどうか、先のことをお話しするのもあれですけれども、順調にわれわれが期待どおりに承認されたら。おそらく条件・期限付承認になるのではないかとは思っています。

その場合も、上市の定義は難しいんですけれども、薬価が決まった時点で上市とわれわれは考えております。そういう意味では、FY26の、4月からですけれども、早めかなと、上半期には思っております。その辺りも自分たちでコントロールできないので。

トミヤマ [Q]：上半期で前半半分の前のほうという意味でいいですか。

木村 [A]：1Q、2Qの間とご理解いただければと思います。それは、われわれの内部的な見通しです。

トミヤマ [Q]：2点目が、これも承認されればという前提での質問になってしまうんですけれども、日本の規制当局から条件・期限付で承認をもらった場合の、アメリカにおけるFDAでの審査への影響、ある意味、追い風みたいなのところもあるかなと思うのですが、その辺をどう見ていらっしゃいますか。

木村 [A]：アメリカでの審査は、今、治験が始まって実行中ですけれども、もう少し先になりますので、条件・期限付承認そのものも心理的なサポートにはなるとは思いますが、それ以上に、臨床で

のデータが安全性も含めて積み上がってくると思っておりますので、そういうところについてのご理解はしていただけるんじゃないかと思えます。

ただ、必ずしもアメリカと日本が、臨床の使い方そのもの、あるいはいろいろな細かなところが一緒ではありませんので、参考データという扱いかなどは思っています。それも、これからわれわれとしても精いっぱい、アメリカの当局にもご説明していこうと思っているところです。

トミヤマ [Q]：最後3点目、アムシェプリという製品ですけれども、これはちょっと聞き慣れないというか、多分造語だろうと思うんですけれども、これはどんなネーミングで、どんな由来なんですか。

木村 [A]：ありがとうございます。

冒頭ご説明したように、商品名も承認審査の対象だとわれわれは理解しておりましたので、今まで一般名だけは公表しておったのですが、われわれの想定している商品名は今回初めて、金曜日にちょっと状況を見て、慌ててリリースさせていただいたという経緯でございますが。

おっしゃるとおり造語でございます、一つは ameliorate という英語がございます、改善するとか、improve みたいな意味です。もう一つは、エジプトの太陽神の中のケプリという太陽神がありまして、それは再生、あるいは太陽を再生するような意味があります。われわれの薬、目指しているドパミン神経前駆細胞のメカニズム、あるいは期待している薬効にふさわしいだろうということで、この二つの言葉を組み合わせて、アムシェプリという名前にしてございます。

トミヤマ [M]：分かりました。ありがとうございました。

木野 [M]：ありがとうございました。

では、隣の女性の方、お願いします。

シミズ [Q]：ありがとうございます。産経新聞のシミズと申します。

私もアムシェプリに関連してお尋ねしたいです。御社の再生・細胞事業、30年代後半に約3,500億円の売上収益、目標にされているかと思うんですけれども、これは承認されたらという話にはなってしまうんですけれども、安定した製造とか、なかなか飲み薬とかとも状況が違うと思うんですけれども、どのように普及拡大していくのか。この約3,500億円をどう達成させていくのかを改めてお願いいたします。

木村 [A]：3,500億円ということで申し上げているんですけれども、まずはパーキンソンだけじゃなくて、眼科の製品についても今プロジェクトが進んでおります。そういうものが積み重なってと

いうご理解と、もう一つは、日本だけじゃなくてアメリカを含めてということの積み上げの数字だ
とご理解いただくことがまず最初ですけれども。

普及にあたっては、まず供給側の問題があって、十分供給できるのかということですが、技術的に
は確立しており、特にパーキンソンについては先行していますので、確立しております。まだ設備
の準備とかを含めて、S-RACMO さんで順次増設したりしておりますが、技術的には心配しており
ません。

一方で、外科手術ですので、それを医療機関にどのようにトランスファーするんだとか、そういう
ことについては、これから少し手探りなところで始まるかなということで確立していますが、それ
と同じものを日米に広げるというのは、普通の医薬品のプロモーションとは全然違ってくると。

シミズ [M]：ありがとうございます。

木野 [M]：では、一番前の席の方、お願いします。

ミスミ [Q]：日本経済新聞のミスミです。ありがとうございます。

アムシェプリに質問が偏ってしまって申し訳ないんですけれども、まず、これはお答えいただける
か分からないんですけれども、承認に向けてどのくらい自信があるかを教えていただけますでしょ
うか。

木村 [A]：われわれはいろいろな承認申請を経験しておりますので、自信というのはあれですけれ
ども、精いっぱいのはしたと。今はどういう形で、部会でご議論いただいているかを待ってい
るだけですので、自信どうのこうのというのは、当然自信はあるとは思っていますが、それは分か
りません。今は静かに待っているタイミングです。

ミスミ [Q]：分かりました。ありがとうございます。

また仮定の話になりますけれども、仮に条件・期限付承認を受けた場合には、これまで条件付承認
を受けたけれども、本承認まで至らなかった製品が続けて出たりした問題もあると思います。そう
いうのを払拭するためには、販売後のデータを蓄積していく、良いデータを集めていくことが必要
になるかと思っておりますけれども、そのために工夫していくこととか、もし御社としてあれば教えてい
ただけますか。

木村 [A]：これまでが、どういう形、本当の理由は私も存じ上げませんが、われわれにとってはし
っかりしたデータが取れるように、病院さん、あるいは患者様のご協力をいただきながら、フェー
ズ4 と言っておりますが、臨床の治験に近い形のをしっかり実行していくことだと思ってお
りますし、そのための準備は着実に進めております。

ミスミ [Q]：ありがとうございます。

最後に、この間、武田薬品さんが CiRA とのプログラムを 10 年間で終了したというニュースがありまして、iPS 療法にとってはちょっと向かい風なニュースかなとは思ったんですけども、受け止めを教えてください。

木村 [A]：iPS 周りの全体の取り組みという意味では少し残念なニュースではあるのですが、今回われわれのものとかオリプスさんの二つ、承認審査にかかるというところまで来ておりますので、これがうまく承認いただくことができれば、大きく盛り上がるんじゃないかと思います。

武田さんについては、今までから話もありましたので、それほど驚いてはおりません。

ミスミ [M]：以上です。ありがとうございました。

木野 [M]：それでは、2 列目の方、お願いします。

オカダ [Q]：薬事日報のオカダと申します。

まず、がん 2 製品についてです。nuvisertib に関してはフェーズ 3 をこれからやっていくというお話で、enzomenib についてはフェーズ 2、今、実施中のものを加速させてというところがあったと思うんですけども、enzomenib については、ある程度データはそろってという認識でよろしいでしょうか。

木村 [A]：村田から説明してもらいますが、一つ、先ほどの説明で抜けておったのは、フェーズ 2 ではあるんですが、あれはピボタルでして、その試験でもって承認申請ができる試験だにご理解ください。その説明が抜けていたので、そこは補足させていただきます。

村田 [A]：今、木村が補足したとおりでございまして、急性骨髄性白血病の場合は FDA からガイドラインが出ておりまして、その中で、特に予後が悪い特定の集団の場合は再発/難治という患者になるんですけども、そのような場合ですと、フェーズ 2 の試験の結果をもって、承認申請するという道が示されております。

ですので、今回、われわれもこのフェーズ 2 の試験の結果をもって、アメリカでの申請を目指すという状況でございます。

オカダ [Q]：nuvisertib に関しては、フェーズ 3 試験のイメージ、地域とか、単剤なのか、併用なのか。現時点でお話しいただける範囲で、概要みたいなのを教えてください。

村田 [A]：フェーズ 3 の試験に向けて、既に実はいろいろなことに取り組んでおります。フェーズ 1/2 の試験でありながら、今、非常に多くの施設を、いろいろな国を含めて開始しているような状

況です。フェーズ 1/2 の段階からその施設に関わっていただいているのが、後々進めるフェーズ 3 を潤滑に進めていきたいと。それで、かつ nuvisertib の投与というか、その臨床試験に慣れていただくことも非常に重要だと考えておまして、1 年、2 年前から立ち上げの事を始めていて、フェーズ 1/2 の試験の中で実際に協力していただいている状況です。

フェーズ 3 の試験のデザインについては、先ほどご紹介したモメロチニブとの併用が一つのアイデアでございます。あともう一つ、途中で議論にありましたけれども、単剤の可能性についても引き続き検討しているところですので、こういうような試験をうまく組み合わせ、進めていければと思っております。

オカダ [Q]：最後の質問です。ここの全体について、16 枚目のスライドで、がん 2 製品の上市のあと、CNS パイプラインの上市とありますけれども、イメージとしては、適宜、iPS 細胞、がんの次は CNS というイメージでよろしいでしょうか。

佐藤 [A]：象徴的に後半書きましたけれども、enzomenib と nuvisertib の上市予定が 27 年、28 年となっておりますけれども、そのあと、CNS を三つ書きましたけれども、進捗によっては SMP-3124 といったものの承認、上市時期がもっと早まるかなと思っています。これは今集めているデータで、どの辺りで進めるか次第だと思っております。

オカダ [M]：分かりました。ありがとうございます。

イシイ [M]：医薬経済のイシイです。

先ほどの SMP-3124 ですけれども、どのようなアンメットメディカルニーズのあるがん種に拡大していけるかというような展望はあるのでしょうか。

佐藤 [A]：創製経緯からまず考えているところ、それからデータが取れてきているところは、プラチナ耐性の卵巣がんのところですけども、第 1 相試験は固形がん幅広く対象にしていますので、実際のデータで有効性が確認できるような実際のがん種について進めていくことになると思います。

イシイ [Q]：具体的なものは、今のところまだないですか。

佐藤 [A]：それ以外はまだ検討中でございます。もともとこの CHK1 阻害剤は先行品がいくつもございまして、メカニズム的には有効性が期待されていたものですけども、残念ながら安全性、安全域の問題で、なかなかうまく開発が進んでいないものなので、ポテンシャルは幅広くあるものと思っています。

イシイ [M]：分かりました。

木野 [M]：一番前の方、お願いします。

ハシモト [Q]：日経 BP のハシモトといいます。

個別の品物の話ではなくて、研究の体制について伺いたいです。ここ何年かの中で、アメリカのほうでかなり人員削減をされて、組織の再編とかもされていく中で、国内もそうですけれども、海外の研究拠点は今も同じぐらいの規模で維持されているのか、あるいはかなり縮小されているのか、どういう感じになっているのでしょうか。

佐藤 [A]：北米の再編経緯はなかなか複雑ではあるんですけども、23年の夏に7社を1社にしまして、そのタイミングでは、一部は再編したんですけども、やっているものはそのままやるということでもあったので、多くの方に集まっていたという経緯もございます。そのあと、23年度の末にアメリカを大きく再編したときには、CNSの後期開発チームを中心に縮小しております。

一方で、オンコロジーの担当につきましては、この2品目の進捗につれて組織を固めてきているところでございます。

ということで、またアメリカは、リサイミック、GEMTESA等の商品に対する活動もございまして、一定、組織はあるというところでございます。

ハシモト [Q]：結構、Sepracor 由来の開発品はたくさんあったと思うんですけども、あれはもう全部やめてしまっているということですか。

佐藤 [A]：Sepracor といいますか、旧サノビオンでやっていた CNS 後期のもの、ulotaront を大塚さんにアウトライセンスさせていただきまして、もう一つ後期でありました SEP-4199 は開発中止といたしました。

当時のフェーズ1品目についてはいったんペンディングということで、今、先ほどご説明したような Tier 01、02、03 に分けて、次の戦略を練っているところでございます。

ハシモト [Q]：その過程で中止した品目もたくさんあったんですけども、先ほどのお話だと、もっとアーリーなものがこれから出てくるようなお話をされていて、中止されていたものを復活というのはあまり考えられていないですか。

佐藤 [A]：一部、ペンディング、中断していたものを復活するものはございます。あと、多くは日本の研究組織で創製してきたものを進めていくことを考えております。

ハシモト [Q]：これから出てくるのは日本の研究組織由来のもので、海外のものはそんなにリソースも残っていない感じですか。

佐藤 [A]：CNS につきましては、開発組織は備えておりますけれども、研究の組織についてはほとんど縮小しておりますので、日本から出ていくと思っています。

ハシモト [M]：ありがとうございます。

木野 [M]：ありがとうございます。

ここからのご質問は、お時間の関係上、1人1問に絞ってご質問いただければと思います。

3列目の、事務局側の手前の男性の方、お願いします。

サカグチ [Q]：医薬経済社のサカグチと申します。

アムシェプリのお話で恐縮ですが、実際、将来的には、売上規模としてはどのくらいのところまで期待しているのでしょうか。

木村 [A]：売上規模というと、今このタイミングで4人ぐらいあれですけれども、患者さんの数と薬価のかけ算が売上規模となります。

売上の額という意味では控えさせていただきたいですが、患者さんの数が日本で30万人おられます。アメリカでは70万人とか100万人になっておりますので、その中のどれだけの方が、ある種、移植医療にもなりますので、適応になるかということになります。

われわれとしては、かなりの人が、この治療法の有効性と侵襲性を含めて、適応できる方になるんじゃないかと期待しているところです。グローバルには1ビリオンを超えるようなものにできるとは思っています。

サカグチ [Q]：ORGOVYX 並みの製品になると期待されているということですか。

木村 [A]：ORGOVYX はもう少し大きいかもしれないですけど、そこは何とも申し上げられないです。われわれは、できるだけたくさんの方に使っていただけるように仕上げていきたいと思っています。

サカグチ [M]：ありがとうございました。

木野 [M]：では、3列目の隣の方、お願いします。

キンジョウ [Q]：NHK のキンジョウです。

同じくアムシェプリについてです。先ほど市販後調査について、フェーズ4みたいな、治験のようなものとおっしゃったんですけれども、そのプロトコル、何症例ぐらいやって、シングルでやるのか、ダブルでやるのかとか、その辺りも当然、審議項目の中に入ってきていると思いますので、今の時点で具体的に言えないかもしれないですが、どういう想定でいらっしゃるのか。その辺りはいつか発表される予定があるのかどうかも含めて教えていただければと思います。

木村 [A]：それについては、おそらく承認されたときにどういう形の市販後試験、普通のどんな医薬品でも市販後調査はあるんですけれども、条件・期限付承認の場合は有効性を証明するための試験が求められますので、ほぼ治験に近いようなものを実施していくことになると思います。それがどういう患者さんを対象にして、どれぐらいの規模かというのは、承認されてみないと分からないと思いますので、今のところは控えさせていただきます。

キンジョウ [M]：分かりました。ありがとうございます。

木野 [M]：では、一番奥、4列目、手前の事務局側の方、お願いします。

クリヤマ [Q]：薬事日報のクリヤマです。

私もアムシェプリの件で恐縮ですけれども、これから日本での審査が行われるということですが、新しい領域の薬というところで、いろいろな審議を行う上でのポイントがあろうかと思います。それは審査を行う方が当然審議するわけですけれども、申請側として、どのようなことが今後審議の焦点になると想定されておられるのか。あくまでも申請側の考えとして教えていただけますでしょうか。

木村 [A]：アムシェプリの場合は、われわれの業界でいう疾患修飾薬と。要するに、単に症状を緩和するだけじゃなくて、疾患そのものを、進行を止めるんじゃなくて治療するような薬になりますので、その有効性をどういう指標で見っていくかということは、普通のパーキンソン病薬とは全然違うようになってくると思います。そこが一つのポイントになります。

もう一つは、当然、細胞製品ですので、その品質管理、その他について、どういうことが考えられるか。あとは、外科手術を伴うような臨床での、病院側でのセッティングも必要になるので、それについて当局がどのようなガイドラインを出してこられるかということかと思います。

クリヤマ [M]：ありがとうございます。

木野 [M]：ここで、ウェブに移らせていただきたいと思います。

では、ヨコヤマ様、よろしく願いいたします。

ヨコヤマ [Q]：enzomenib についてお伺いしたいです。去年の ASH で発表されたのは、再発/難治で、Ven/Aza との併用のデータが出ていました。ただ、発表の中ではベネトクラクス、あとメニン阻害薬の未治療の患者のデータを出されるなど、これは初発に対するデザインなんだろうなと理解したのですが、この間、発表された内容は、65 歳以上が 3 分の 1 程度しかいなくて、アジア人も 1 人しかいないと。まだこれからかなと理解したのですが、今後開発していく上で、Unfit、もしくは強力なケモが不適応な、あと移植不可能な人に絞って、Ven/Aza との併用の初発を考えていらっしゃるのか。その辺のデザインを教えてください。

村田 [A]：ご質問ありがとうございます。

このデザインに関しましては、今後 FDA、PMDA との当局と相談しながらという形に、ゆくゆくはフェーズ 3 の試験を想定しながらという形になりますので、インプットを得ながらつくっていくことになるんですけども、今のところ想定しておりますのは、ベネトクラクス/アザシチジンが適応されているような Unfit のところが、まず、最初の想定、対象患者かなと考えております。

ヨコヤマ [Q]：年齢はどうなんでしょうか。つまり、今回、AML という高齢者の病気というのが一般的に多いと思うのですが、3 分の 1 しか含まれていない。これがちょっと気になったのですが。

村田 [A]：こちらは再発/難治ということもありまして、どうしても年齢が、いわゆる初発の患者さんの年齢層とはどうしても重なってこないところもあるんですけども、初発の場合、そういう点で年齢層をどうするかというのはまさに議論のポイントでございまして、当局とどのような年齢層にするのかというのは相談中でございます。

ヨコヤマ [M]：分かりました。どうもありがとうございました。

木野 [M]：ありがとうございます。

会場のほうはもうございませんでしょうか。

では、ほかにご質問がございませんようですので、質疑応答を終了させていただきます。

以上で R&D 説明会を終了いたします。

本日はご参加いただきまして、誠にありがとうございました。

[了]