

2023年度(2024年3月期)第3四半期決算(IFRS)補足資料

—目次—

I.	連結業績ハイライト	1
II.	連結損益計算書	3
III.	セグメント情報	4
IV.	売上の状況	5
V.	連結財政状態計算書	7
VI.	四半期業績の推移	8
VII.	主要な連結子会社の状況	9
VIII.	開発パイプライン表	10
IX.	主な開発品のプロフィール	12
X.	フロンティア事業の主なプログラムの開発状況	16

2024年1月31日

住友ファーマ株式会社

- 本資料には、当社グループに関する業績その他の予想、見通し、目標、計画その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる結果となる可能性があります。
- 医薬品・医療機器(開発中のものを含む)に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。
- 本資料の数字は四捨五入で表示しています。四捨五入のため、合計数字に差異が生じる場合があります。

I. 連結業績ハイライト

(億円)							
1. 連結損益計算書(コアベース)	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減率%	2022年度 実績	2023年度 業績予想	増減率%	
売上収益	4,603	2,350	△48.9	5,555	(3,620)	3,170	△ 42.9
売上原価 *1	1,397	932	△33.3	1,767	(1,320)	1,250	△ 29.3
売上総利益	3,205	1,418	△55.7	3,788	(2,300)	1,920	△ 49.3
販売費及び一般管理費 *1	2,275	1,766	△22.4	3,056	(2,200)	2,400	△ 21.5
研究開発費 *1	749	680	△9.2	1,061	(840)	920	△ 13.3
その他の収益・費用 *2	248	64		492	(120)	60	
コア営業利益(△は損失)	429	△ 964	—	164	(△620)	△ 1,340	—
非経常項目(△:損) *3	△ 607	△ 214		△ 933	(△ 160)	△ 220	
営業利益(△は損失)	△ 178	△ 1,177	—	△ 770	(△780)	△ 1,560	—
四半期(当期)利益(△は損失)	△ 326	△ 1,177	—	△ 967	(△800)	△ 1,410	—
親会社の所有者に帰属する 四半期(当期)利益(△は損失)	△ 185	△ 1,177	—	△ 745	(△800)	△ 1,410	—
基本的1株当たり四半期(当期)利益(円)	△ 46.57	△ 296.28		△ 187.55	(△ 201.36)	△ 354.90	
親会社所有者帰属持分当期利益率(ROE)				△ 14.7%	(△ 21.9%)	△ 38.8%	
投下資本利益率(ROIC)				△ 3.9%	(△ 8.5%)	△ 18.6%	

(注) 業績予想を修正しています。括弧内の数値は従来の予想値です。業績予想の増減率は、修正予想値の前期比増減率です。

(億円)			
2. 連結損益計算書(フルベース)	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減率%
売上収益	4,603	2,350	△ 48.9
売上原価	1,398	932	△ 33.3
売上総利益	3,205	1,418	△ 55.7
販売費及び一般管理費	2,895	1,916	△ 33.8
研究開発費	760	736	△ 3.1
その他の収益・費用	272	56	
営業利益(△は損失)	△ 178	△ 1,177	—
金融収益・費用	200	126	
税引前四半期利益(△は損失)	22	△ 1,052	—
法人所得税	348	125	
四半期利益(△は損失)	△ 326	△ 1,177	—
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	△ 185	△ 1,177	—

*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

(億円)		
3. 連結キャッシュ・フロー計算書	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績
営業活動によるキャッシュ・フロー	565	△ 2,307
投資活動によるキャッシュ・フロー	217	383
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 330	721
現金及び現金同等物の期末残高	2,658	365

4. 為替換算レート	期末日レート		平均レート		2023年度 想定レート	為替感応度(2023年度) (1円円安の影響)	
	2023年 3月末	2023年 12月末	2022年 4-12月	2023年 4-12月	平均	売上収益 (億円)	コア営業 利益(億円)
円/USD	133.54	141.83	136.51	143.33	145.00	12	△ 10
円/元	19.42	19.94	19.88	19.98	20.00	17	6

5. 設備投資の状況・ 減価償却費	(億円)						
	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	2022年度 実績	2023年度 予想	前期比 増減額	
設備投資額	69	85	16	146	(174)	164	18
有形固定資産償却費	94	73	△ 21	120	(105)	105	△ 15
無形資産償却費	227	209	△ 17	293	(258)	283	△ 10
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	205	189	△ 17	265	(229)	254	△ 11

(注1) 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。

(注2) 予想を修正しています。括弧内の数値は従来の予想値です。予想の増減額は、修正予想値の前期比増減額です。

2023年度の主な設備投資計画

(継続中) 再生・細胞医薬製造施設(米国)、総投資額34百万米ドル、2023年度完了予定

II. 連結損益計算書

1. 連結損益計算書(コアベース)

		(億円)						
	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率%		増減	うち為替	
売上収益	4,603	2,350	△ 2,252	△ 48.9	←	日本	△ 575	
海外売上	3,247	1,498	△ 1,749	△ 53.9		北米	△ 1,640	+55
海外売上比率	70.6%	63.7%				アジア	△ 37	+4
売上原価	1,397	932	△ 465	△ 33.3				
売上原価率	30.4%	39.7%						
売上総利益	3,205	1,418	△ 1,787	△ 55.7				
販売費及び一般管理費	2,275	1,766	△ 509	△ 22.4	←	セグメント別増減		
人件費	925	760	△ 165	△ 17.8		日本	△ 45	北米 △ 112
販売促進費・広告宣伝費	478	346	△ 132	△ 27.6		アジア	△ 8	△ 117
減価償却費	264	238	△ 26	△ 9.8			△ 5	△ 21
その他	608	422	△ 186	△ 30.6			△ 17	△ 174
研究開発費	749	680	△ 69	△ 9.2				5
研究開発費売上収益比率	16.3%	28.9%						
その他の収益・費用	248	64	△ 184					
コア営業利益(△は損失)	429	△ 964	△ 1,393	—				
非経常項目 (△:損)	△ 607	△ 214	393		←	前期: キンモビ減損損失 △560 当期: 北米事業構造改善費用 △205		
営業利益(△は損失)	△ 178	△ 1,177	△ 1,000	—				
金融収益	226	153	△ 74					
金融費用	27	27	1					
税引前四半期利益(△は損失)	22	△ 1,052	△ 1,074	—				
法人所得税	348	125	△ 223					
四半期利益(△は損失)	△ 326	△ 1,177	△ 851	—				
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	△ 185	△ 1,177	△ 992	—				

2. コア営業利益への調整項目

(億円)

	2023年度3Q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	2,350		2,350	—	
売上原価	932		932	—	
売上総利益	1,418		1,418	—	
販売費及び一般管理費	1,916		1,766	△ 149	北米事業構造改善費用 △148
研究開発費	736		680	△ 57	北米事業構造改善費用 △57
その他の収益	71		64	△ 8	
その他の費用	15		—	△ 15	
営業利益(△は損失)	△ 1,177		△ 964	214	

Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2023年度3Q実績	日本	北米	アジア	合計
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(△は損失)	113	△ 601	140	△ 348
研究開発費 *1				680
その他の収益・費用(コア内) *2				64
コア営業利益(△は損失)				△ 964

(億円)

2022年度3Q実績	日本	北米	アジア	合計
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 *1				749
その他の収益・費用(コア内) *2				248
コア営業利益				429

(億円)

2023年度予想	日本	北米	アジア	合計
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(△は損失)	132	△ 789	177	△ 480
研究開発費 *1				920
その他の収益・費用(コア内) *2				60
コア営業利益(△は損失)				△ 1,340

*1 研究開発費は、グローバルに管理しているため各セグメントに配分していません。

*2 事業譲渡損益、持分法による損益等

(注1) 業績予想を修正しています。上表は修正後の予想値です。

(注2) 2023年度1Qより、セグメントを日本、北米、中国、海外その他の4つから、日本、北米、アジアの3つに変更しています。

なお、2022年度3Q実績については、変更後の区分方法に基づき組み替えています。

IV. 売上の状況

1. セグメント別売上収益

(億円)

地域	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
日本	1,467	892	△ 575	△ 39.2	(1,141) 1,158	78.1
北米	2,794	1,154	△ 1,640	△ 58.7	(2,088) 1,611	55.3
アジア	342	305	△ 37	△ 10.9	(391) 401	78.0

(注) 売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。また、進捗率は従来予想値に対する比率です。

2. 主要製品の売上収益①

(仕切価ベース、億円)

品目 [薬効]	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
日本						
プロモーション品						
エクア・エクメット [2型糖尿病治療剤] '19.11~	273	246	△ 27	△ 9.8	(324) 311	76.0
トレリーフ [パーキンソン病治療剤]	131	131	0	0.2	(150) 155	87.4
ラソーダ [非定型抗精神病薬] '20.6~	73	90	17	24.1	(125) 120	72.0
メトグルコ [2型糖尿病治療剤]	60	57	△ 3	△ 5.2	75	75.7
ツイミーグ [2型糖尿病治療剤] '21.9~	13	35	22	174.2	42	83.1
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬] '19.9~	22	29	7	31.3	(33) 38	89.0
トルリシティ * [2型糖尿病治療剤]	248	—	△ 248	—	—	—
その他品目						
オーソライズドジェネリック品	71	71	0	0.0	(86) 94	82.2
輸出、一時金収入、その他	577	233	△ 344	△ 59.7	(306) 323	76.0

* トルリシティの売上収益は薬価ベースの数値

(注) 一部製品の売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。進捗率は従来予想値に対する比率です。

2. 主要製品の売上収益②

(億円)

品目 [薬効]	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
北米						
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤] '21.1~	175	309	134	76.6	(515)	421 60.0
マイフェンブリー [子宮筋腫・子宮内膜症治療剤] '21.6~/ '22.8~	29	71	42	148.2	(249)	101 28.5
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤] '21.4~	170	249	79	46.5	(470)	377 53.0
アプティオム [抗てんかん剤]	260	252	△ 9	△ 3.3	(355)	342 70.9
リサイミック [小児先天性無胸腺症治療剤] '22.3~	30	43	13	44.3	(70)	70 61.5
ラソーダ [非定型抗精神病薬]	1,793	51	△ 1,742	△ 97.2	(209)	69 24.4
輸出、一時金収入、その他	337	179	△ 158	△ 46.8	(220)	231 81.5
アジア						
メロペン(中国) [カルバペネム系抗生物質製剤]	238	153	△ 85	△ 35.8	(187)	205 81.8
メロペン(東南アジア) [カルバペネム系抗生物質製剤]	23	48	25	110.6	(49)	55 98.3

(参考)北米 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率%	2023年度 予想	進捗率%
オルゴビクス	128	215	87	68.2	(396)	290 54.4
マイフェンブリー	21	49	29	136.4	(192)	70 25.8
ジェムテサ	125	174	49	39.5	(362)	260 48.1
アプティオム	191	175	△ 15	△ 7.9	(273)	236 64.3
リサイミック	22	30	8	37.5	(54)	48 55.6
ラソーダ	1,313	36	△ 1,278	△ 97.3	(161)	47 22.1

(注) 売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。進捗率は従来予想値に対する比率です。

V. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2023年 3月末	2023年 12月末	対前年度末 増減額
資産	11,347	10,600	△ 748
(非流動資産)	7,529	7,958	429
有形固定資産	589	590	1
のれん	2,094	2,224	130
無形資産	3,293	3,324	31
特許権・販売権	3,109	3,123	14
仕掛研究開発	117	139	22
その他	67	61	△ 6
その他の金融資産	1,340	1,610	270
その他の非流動資産	104	122	18
繰延税金資産	108	88	△ 20
(流動資産)	3,819	2,642	△ 1,177
棚卸資産	944	1,048	104
営業債権及びその他の債権	959	945	△ 14
その他の金融資産	202	63	△ 138
その他の流動資産	204	221	17
現金及び現金同等物	1,435	365	△ 1,070
売却目的で保有する資産	75	—	△ 75
負債	7,280	7,164	△ 116
(非流動負債)	3,553	2,952	△ 600
社債及び借入金	2,441	1,843	△ 599
その他の金融負債	119	127	8
退職給付に係る負債	50	46	△ 4
その他の非流動負債	578	448	△ 129
繰延税金負債	365	488	123
(流動負債)	3,727	4,212	485
借入金	906	2,276	1,370
営業債務及びその他の債務	521	504	△ 18
その他の金融負債	70	139	69
未払法人所得税	241	18	△ 223
引当金	1,191	774	△ 417
その他の流動負債	780	501	△ 279
売却目的で保有する資産に 直接関連する負債	18	—	△ 18
資本	4,068	3,436	△ 632
資本金	224	224	—
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	2,810	1,717	△ 1,093
その他の資本の構成要素	1,034	1,501	468
売却目的で保有する資産に 関連するその他の包括利益	7	—	△ 7
親会社の所有者に帰属する持分	4,067	3,436	△ 632
非支配持分	0	0	0

主な特許権	23/3	23/12
オルコビクス(レルコリクス)	661	665
マイフェンブリー(レルコリクス)	1,425	1,435
ジエムテサ(ビヘグロン)	947	944

有価証券の公正価値変動による増加

1年内長期借入金の流動負債への振替 △600

短期借入金の増加 +770
1年内長期借入金の非流動負債からの振替 +600

ラツェダ売上割戻引当金の支払による減少

- 有価証券の公正価値変動による有価証券評価差額金の増加
- 円安による在外営業活動体の換算差額の増加

VI. 四半期業績の推移

1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2022年度				2023年度		
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q
売上収益	1,599	1,594	1,410	953	757	770	824
売上原価	461	468	469	370	304	299	329
売上総利益	1,138	1,126	941	583	453	471	495
販売費及び一般管理費	760	762	753	781	618	569	579
研究開発費	244	250	255	312	228	225	227
その他の収益・費用(コア内)	0	△ 0	247	244	59	△ 0	5
コア営業利益(△は損失)	134	115	181	△ 266	△ 335	△ 323	△ 305
非経常項目(△:損)	12	△ 550	△ 69	△ 326	△ 181	△ 26	△ 7
営業利益(△は損失)	146	△ 435	111	△ 592	△ 516	△ 349	△ 312
四半期利益(△は損失)	281	△ 433	△ 174	△ 641	△ 389	△ 289	△ 500
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	311	△ 384	△ 112	△ 560	△ 389	△ 289	△ 500

2. 主要製品の売上収益

	2022年度				2023年度		
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q
<日本>	(仕切価ベース、億円)						
エクア・エクメット	88	85	100	63	82	76	88
トレリーフ	44	42	45	36	44	41	46
ラソーダ	23	24	26	23	28	29	33
メトグルコ	20	20	20	17	19	18	20
ツイミーグ	1	4	8	9	12	15	9
ロナセンテープ	7	7	8	7	9	9	11
トルリシティ *	86	80	81	△ 0	—	—	—
オーソライズドジェネリック品	23	23	24	21	23	23	25
輸出、一時金収入、その他	239	185	182	193	86	71	76

* トルリシティの売上収益は薬価ベースの数値

<北米>	(百万ドル)						
オルゴピクス	36	43	49	54	68	70	78
マイフェンブリー	4	6	11	12	13	16	20
ジェムテサ	34	37	54	57	63	49	62
アプティオム	65	65	61	58	58	57	61
リサイミック	5	14	3	11	11	11	8
ラソーダ	482	470	362	151	8	20	7
輸出、一時金収入、その他	108	98	41	33	37	39	50

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

VII. 主要な連結子会社の状況(2023年12月31日現在)

国内	設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
住友ファーマプロモ株式会社	1998/ 6	100%	33名	医療用医薬品等の製造、販売
海外	設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
Sumitomo Pharma UK Holdings, Ltd.	2019/10	100%	0名	持株会社、グループ会社の管理および事業戦略等の策定推進
Sumitomo Pharma America, Inc.	1984/ 1	100%	*1,732名	医療用医薬品の製造、販売
Sumitomo Pharma Switzerland GmbH	2016/ 8	100%	25名	医療用医薬品の製造、販売
住友制薬投資(中国)有限公司	2022/ 6	100%	55名	持株会社、現地法人の管理統括等
住友制薬(蘇州)有限公司	2003/12	100%	572名	医療用医薬品の製造、販売

*従業員数は傘下の連結子会社の人員を含む

参考)従業員数(名)	2022/3/31		2023/3/31		2023/12/31	
連結/個別	6,987	3,040	6,250	3,026	5,610	2,957
MR人数 (概数、コントラクトMR含む)						
日本 マネージャー除く/総数	1,110	1,220	1,040	1,140	910	1,000
米国 マネージャー除く/総数	820	950	500	580	410	490
中国 マネージャー除く/総数	340	420	270	340	260	330

VIII. 開発パイプライン表(2024 年 1 月 31 日現在)

- この表には当社グループが日本・米国・中国・欧州において承認取得を目指す適応症に関する臨床試験を掲載しており、全ての臨床試験は掲載していません。
- 同じ地域・適応症で複数の試験がある場合は、最も進んでいる開発段階の試験のみを記載しています。
- 開発段階の変更基準は、治験届受理日としています。

1. 精神神経領域

製品／コード名 (一般名)		予定適応症	地域	開発段階
低分子	SEP-363856 (ウロタロント塩酸塩)	統合失調症	米国	フェーズ 3
			日本・中国	フェーズ 2/3
		大うつ病補助療法 (aMDD)	米国	フェーズ 2/3
		全般不安症 (GAD)	米国・日本	フェーズ 2/3
		パーキンソン病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 2
	ラツォダ (ルラシドン塩酸塩)	(新用法: 小児) 統合失調症	日本	フェーズ 3
	EPI-589	パーキンソン病	米国	フェーズ 2
		筋萎縮性側索硬化症 (ALS)	米国	フェーズ 2
			日本	フェーズ 2 (医師主導治験)
	SEP-378614	未定	米国	フェーズ 1
	SEP-380135	未定	米国	フェーズ 1
	DSP-0038	アルツハイマー病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 1
	DSP-0187	ナルコレプシー	日本	フェーズ 1
	DSP-3456	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1
DSP-0378	ドラベ症候群、レノックス・ガストー症候群	日本	フェーズ 1	
DSP-2342	未定	米国	フェーズ 1	
再生・細胞 医薬	CT1-DAP001/DSP-1083 (他家 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞)	パーキンソン病	日本	フェーズ 1/2 (医師主導治験)
			米国	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細胞)	網膜色素上皮裂孔 (RPE tear)	日本	フェーズ 1/2

2. がん領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
TP-3654	骨髄線維症	米国・日本	フェーズ 1/2
DSP-5336	急性白血病	米国・日本	フェーズ 1/2
DSP-0390	膠芽腫	米国・日本	フェーズ 1
TP-1287	固形がん	米国	フェーズ 1
TP-1454	固形がん	米国	フェーズ 1

3. その他領域

製品／コード名 (一般名)	予定適応症	地域	開発段階
ジェムテサ (ビベグロン)	(新効能)前立腺肥大症を伴う過活動膀胱	米国	フェーズ 3
ビベグロン	過活動膀胱	中国	フェーズ 3
SP-101	嚢胞性線維症	米国	フェーズ 1/2
KSP-1007	複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎	米国・日本	フェーズ 1

【前回 2023 年 10 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
XENLETA® (lefamulin)	市中肺炎	中国	承認(2023/11)	承認取得のため表から削除
CT1-DAP001/DSP-1083 (他家 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞)	パーキンソン病	米国	フェーズ 1/2 (医師主導治験)	開発段階変更
KSP-1007	複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎	米国・日本	フェーズ 1	予定適応症の一部と地域(日本)を追加
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	開発中止のため表から削除

Ⅷ. 主な開発品のプロフィール(2024 年 1 月 31 日現在)

1. 精神神経領域

【低分子】

ウオタロント塩酸塩(SEP-363856) 起源: 自社(旧 Sunovion 社と PsychoGenics 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- 開発段階: (大塚製薬(株)との共同開発)
統合失調症: フェーズ 3(米国)
統合失調症: フェーズ 2/3(日本・中国)
大うつ病補助療法(aMDD): フェーズ 2/3(米国)
全般不安症(GAD): フェーズ 2/3(米国・日本)
パーキンソン病に伴う精神病症状: フェーズ 2(米国)
- 本剤は、セロトニン 5-HT_{1A} 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 D₂ またはセロトニン 5-HT_{2A} 受容体には結合しない。旧 Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で本剤を見出した。本剤は、2019 年 5 月に統合失調症の適応で米国食品医薬品局(FDA)からブレイクスルーセラピー指定を受けている。
- 急性増悪期の統合失調症患者を対象としたフェーズ 2 の結果では、統合失調症の陽性症状および陰性症状への効果を示し、副作用はプラセボと同様であった。特に本剤は、錐体外路症状、体重増加、脂質またはグルコースの変化、プロラクチン上昇とは関連がなかった。フェーズ 3(DIAMOND 1 および 2)は、主要評価項目を達成しなかったが、いずれの試験もプラセボ投与群で大きな改善が観察され、本剤の有効性をマスクした可能性がある。安全性に関しては総じて良好な安全性と忍容性が示された。統合失調症の今後の開発方針は大塚製薬と検討中。

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

- 開発段階:
パーキンソン病: フェーズ 2(米国)
筋萎縮性側索硬化症(ALS): フェーズ 2(米国)
筋萎縮性側索硬化症(ALS): フェーズ 2(医師主導治験*)(日本) *実施者: 徳島大学
- 本剤は、ミトコンドリアの機能低下により発生する酸化ストレスを除去することにより効果を発揮し、酸化ストレスに起因する神経変性疾患への適応が期待される。

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

- 開発段階: フェーズ 1(米国)(大塚製薬(株)との共同開発)
- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。旧 Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-378614 を見出した。非臨床試験において、即効性の抗うつ薬様活性を示すことが示唆されている。

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

- 開発段階: フェーズ 1(米国)(大塚製薬(株)との共同開発)
- 本剤は、中枢神経系に作用する新規化合物である。旧 Sunovion 社は、in vivo 表現型 SmartCube®プラットフォームと関連する人工知能アルゴリズムを使用して PsychoGenics 社と共同で SEP-380135 を見出した。非臨床試験において、焦燥、攻撃性、精神運動多亢進、うつなどの認知症に伴う行動・心理症状に対して有効性を示すことが示唆されている。

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

- 開発段階: アルツハイマー病に伴う精神病症状 フェーズ 1(米国)
- 本剤は、Exscientia 社の AI 技術を用いて当社が創製した新規化合物であり、セロトニン 5-HT_{2A} 受容体アンタゴニスト活性および 5-HT_{1A} 受容体アゴニスト活性を有する。5-HT_{2A} 受容体アンタゴニストおよび 5-HT_{1A} 受容体アゴニスト活性を併せ持つことで強い抗精神病作用を有し、加えて焦燥・攻撃性・不

安・うつ症状などのアルツハイマー病を含む認知症の種々の行動・心理症状にも幅広く効くことが期待される。また、本剤はドパミン D₂ 受容体拮抗作用がないことから、既存の抗精神病薬に比べ高い安全性・忍容性が期待できる。

DSP-0187

起源: 自社、剤形: 経口剤

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

DSP-3456

起源: 自社、剤形: 経口剤

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

DSP-0378

起源: 自社、剤形: 経口剤

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

DSP-2342

起源: 自社(Exscientia 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、Exscientia 社の AI 技術を用いて当社が創製した新規化合物であり、セロトニン 5-HT_{2A} および 5-HT₇ 受容体へのアンタゴニスト活性を有する。5-HT_{2A} および 5-HT₇ 受容体へのアンタゴニスト活性を併せ持つことで精神病症状や不安・うつ症状など幅広く精神症状に有効性を示すことが期待される。また、本剤は 5-HT_{2A} および 5-HT₇ 受容体への選択性を高めていることから、高い安全性・忍容性が期待できる。

【再生・細胞医薬】

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

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

- ・ 連携先: 京都大学 iPS 細胞研究所、カリフォルニア大学サンディエゴ校
- ・ 開発段階:
 - パーキンソン病: フェーズ 1/2(医師主導治験*)(日本) *実施者: 京都大学医学部附属病院
 - パーキンソン病: フェーズ 1/2(医師主導治験*)(米国) *実施者: カリフォルニア大学サンディエゴ校
- ・ 2017 年 2 月にパーキンソン病の適応で厚生労働省から再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定を受けている。

HLCR011(他家 iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞)

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

2. がん領域

TP-3654

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 骨髄線維症 フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 本剤は、PIM1 (proviral integration site for Moloney murine leukemia virus 1) キナーゼ阻害を介して炎症性シグナル経路を抑制する。PIM1 キナーゼは、様々な血液がんおよび固形がんにおいて過剰発現し、がん細胞のアポトーシス回避、腫瘍増殖の促進につながる可能性がある。本剤は、2022 年 5 月に骨髄線維症の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

DSP-5336

起源: 自社(京都大学との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 急性白血病 フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 本剤はメニンタンパク質と MLL (mixed-lineage leukemia) タンパク質との結合を阻害する低分子経口剤である。MLL 再構成や NPM1 遺伝子変異を有する急性白血病では、メニンと MLL の結合による、造血幹細胞の維持に必要となる遺伝子の異常発現が認められ、急性白血病の発症・維持に関連しているといわれている。本剤は、非臨床試験において、メニンと MLL の結合を阻害することにより、それらの遺伝子の発現減少を介した抗腫瘍作用が示されている。本剤は、2022 年 6 月に急性骨髄性白血病の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

DSP-0390

起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 膠芽腫 フェーズ 1(米国・日本)
- ・ 本剤はコレステロール生合成酵素の一種である EBP (Emopamil Binding Protein) 阻害剤である。EBP は、コレステロール生合成に関与する小胞体膜タンパク質である。EBP は細胞膜構造やシグナル伝達に重要なコレステロール生合成を調節しており、腫瘍の異常増殖に関わっている。EBP の阻害によってコレステロールを枯渇させ、抗腫瘍作用を示すことが期待される。本剤は、2022 年 5 月に脳腫瘍の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

TP-1287

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 固形がん フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、サイクリン依存性キナーゼ (CDK) 9 を阻害する低分子経口剤である。非臨床試験において、良好な経口バイオアベイラビリティが示されるとともに、酵素により切断され CDK9 阻害作用を有する alvocidib を生成することが示された。経口投与により長期投与が可能となり、持続的な CDK9 阻害が期待される。本剤は、2023 年 2 月にユーイング肉腫の適応で FDA から小児希少疾患、2023 年 3 月にオーファンドラッグ指定を受けている。

TP-1454

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 固形がん フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、PKM2 (ピルビン酸キナーゼ M2) 活性化を介してがん細胞の増殖を抑制するとともに、がん微小環境中の免疫状態を改善する。PKM2 は、がん細胞では 2 量体として存在するが、本剤は PKM2 の 4 量体化 (高活性型) を促進する。4 量体の形成によって PKM2 が活性化され、がん細胞の好む嫌気的条件を好气的条件へ転換する。これによりがん微小環境中の免疫抑制状態が改善され、免疫チェックポイント阻害薬との相乗効果が期待される。

3. その他領域

ジェムテサ(ビベグロン)

起源: Merck Sharp & Dohme 社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階:
(新効能) 前立腺肥大症を伴う過活動膀胱 フェーズ 3(米国)
過活動膀胱 フェーズ 3(中国)
- ・ 本剤は、1 日 1 回経口投与の低分子 β3 アドレナリン受容体作動薬である。膀胱の β3 アドレナリン受容体に選択的に作用し、膀胱を弛緩させることで、蓄尿機能を高め、過活動膀胱における尿意切迫感、頻尿および切迫性尿失禁の症状を改善する。旧 Urovant 社は過活動膀胱の適応症で 2020 年 12 月に米国で承認を取得した。

SP-101

起源: 自社 (Spirovant 社)、剤形: 吸入用懸濁液

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

KSP-1007

起源: 自社 (北里研究所との共同研究)、剤形: 注射剤

- ・ 開発段階: 複雑性尿路・腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎 フェーズ 1 (米国・日本)
- ・ 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 β -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[®]」) との配合剤とすることにより、カルバペネム耐性菌による感染症に対しても有効な治療選択肢となることが期待されている。本剤は、2022 年 8 月に細菌性の複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎の適応で FDA から適格感染症治療製品およびファストトラック指定を受けている。

X. フロンティア事業の主なプログラムの開発状況(2024 年 1 月 31 日現在)

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

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

以上