

社長会見・記者懇談会

住友ファーマ株式会社

代表取締役社長 野村 博

2024年2月5日

■ 将来予測に関する事項

- 本資料には、当社グループに関する業績その他の予想、見通し、目標、計画その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、発表日現在において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しております。
- 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おりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

2023年度3Q決算概要

2023年度第3四半期 経営成績（コアベース）

金額単位：億円

業績予想を修正しています
(P.4参照)

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

【平均レート】

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

【期末日レート】

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

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

2023年度3Q決算概要

2023年度第3四半期 経営成績（コアベース）計画比

金額単位：億円

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

【平均レート】

2023年度3Q実績：1\$ =143.33円 1元=19.98円

2023年度計画：1\$ =130.00円 1元=19.50円

2023年度業績予想

2023年度 業績予想（コアベース）

金額単位：億円

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

【為替レート】

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

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

※第4四半期に減損テストを実施するが、本予想には減損損失は織り込んでいない

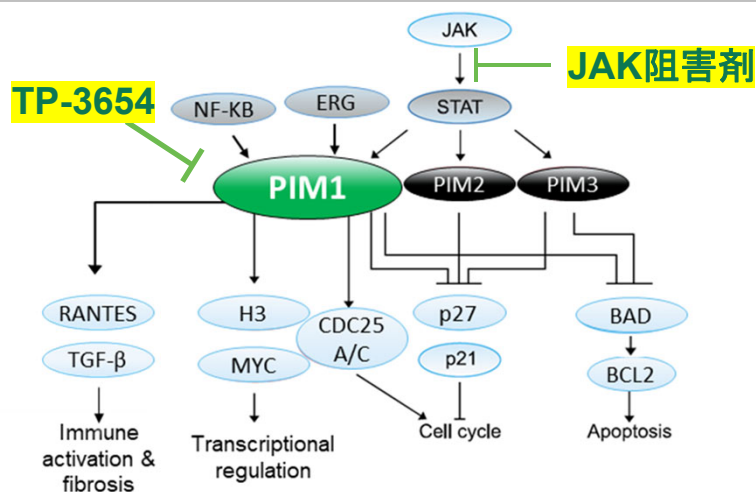
化合物紹介：TP-3654

✓ 起源：自社

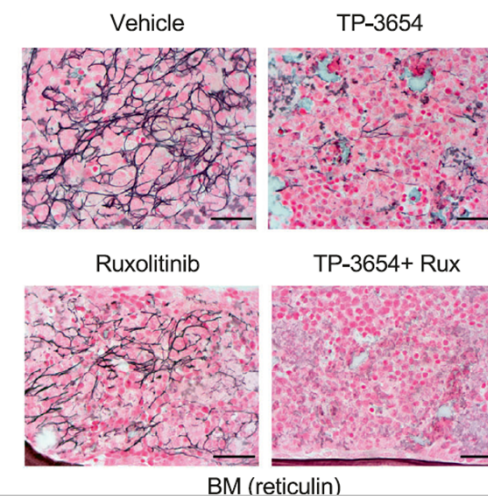
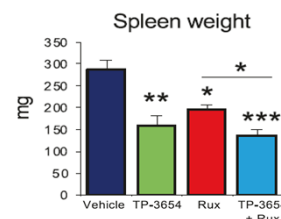
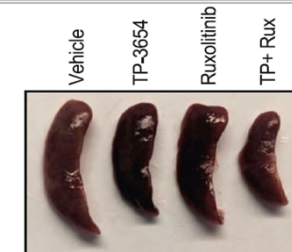
✓ 作用機序：

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

薬剤コンセプト：PIM1キナーゼ阻害剤



TP-3654による脾腫（左）および骨髄線維化（右）の改善（非臨床）



■TP-3654：対象疾患とアンメット・メディカル・ニーズ

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

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

TP-3654 : 骨髄線維症のフェーズ1/2試験 (中間結果)

✓ 試験デザイン

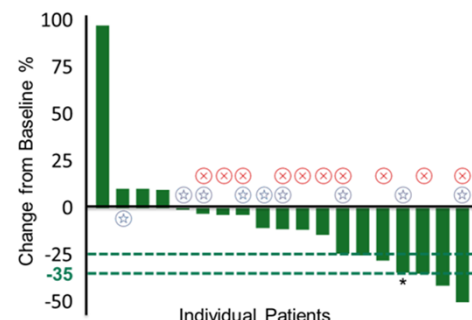
- 非盲検、用量漸増、単剤投与、フェーズ1/2試験
- 対象患者：JAK阻害剤による前治療歴がある、またはJAK阻害剤による治療対象とならない、再発または難治性の骨髄線維症患者
- 主な目的：安全性、有効性の予備的検討
- 目標症例数：80例

✓ 有効性 (評価対象：20例)

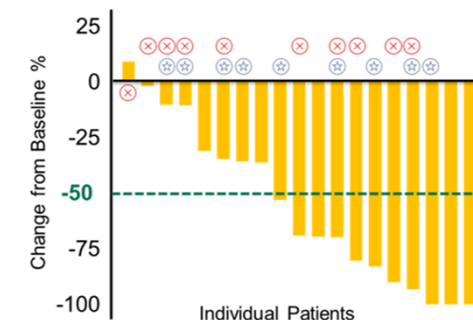
- 脾臓容積の縮小 (SVR)
 - 4例で35%以上縮小 (*1例は34.4%)
 - 7例で25%以上の縮小
 - 11例で10%以上の縮小
- 全身症状スコア (TSS)
 - 18例で改善した
 - 11例において50%以上の改善が認められた

✓ 安全性 (評価対象：31例)

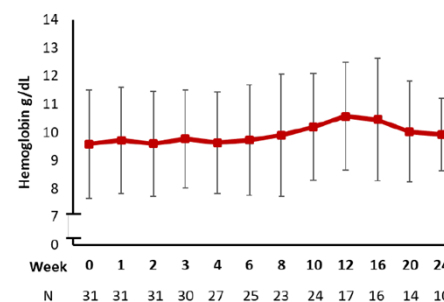
- 用量制限毒性 (DLT) は観察されず、忍容性は良好であった
- 主な有害事象は、下痢、悪心および嘔吐であった
- 血小板減少などの血液毒性がほとんど認められていない



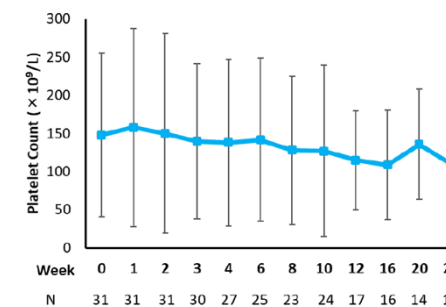
☆ = Baseline Platelet $<100 \times 10^9/L$ (X) = Baseline Hgb $<10 \text{ g/dL}$
20例中4例でSVR35%以上縮小 (*1例は34.4%)



☆ = Baseline Platelet $<100 \times 10^9/L$ (X) = Baseline Hgb $<10 \text{ g/dL}$
20例中11例でTSS50%以上改善



ヘモグロビン減少や血小板減少などの血液毒性がほとんど認められていない



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

■TP-3654 : 開発状況・今後の予定

✓ 開発段階・進捗状況 :

- 単剤フェーズ1/2（日米豪伊英）を実施中
- カナダ当局から治験実施が許可され、治験実施地域を拡大中
- 2022年5月に骨髄線維症の適応でFDAからオーファンドラッグ指定を受領

✓ 今後の予定 :

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

化合物紹介 : DSP-5336

✓ 起源 : 自社 (京都大学との共同研究)

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

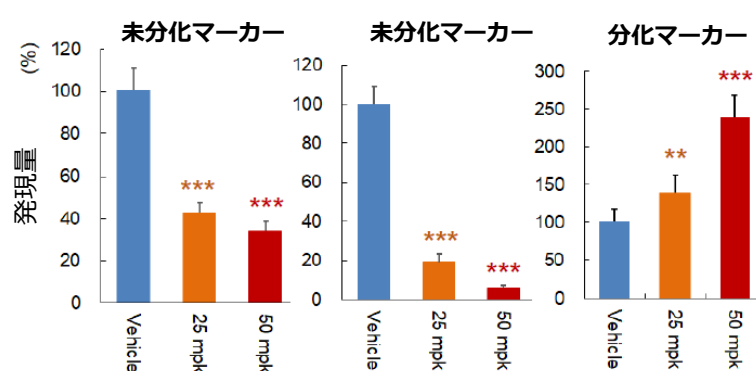
✓ 作用機序 :

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

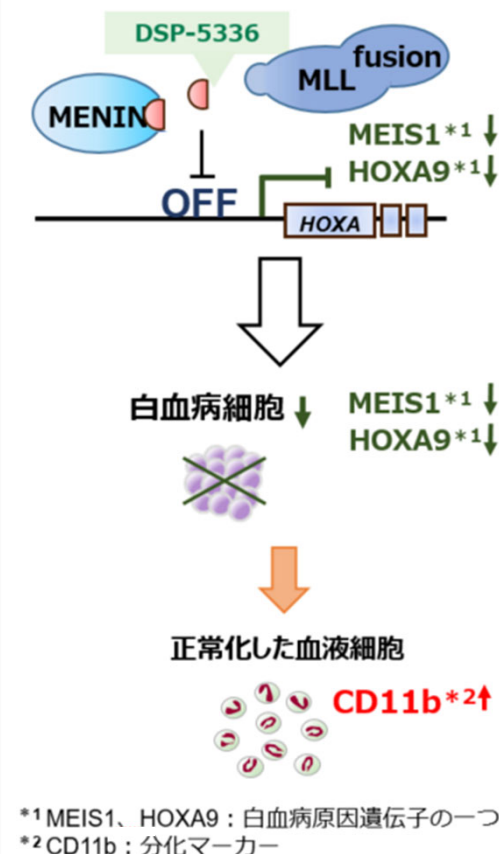
MLL再構成陽性AML異種移植モデル



薬力学的マーカーの変化



DSP-5336の作用メカニズム



DSP-5336：対象疾患とアンメット・メディカル・ニーズ

- ✓ 対象疾患：急性白血病（急性骨髄性白血病など）
- ✓ 急性骨髄性白血病におけるアンメット・メディカル・ニーズ：
 - 急性骨髄性白血病（AML）は血液のがんである。骨髄内の造血細胞の遺伝子変異により発症し、白血病細胞が異常増殖することで正常造血機能が阻害される致死性の疾患である
 - AMLは白血病細胞の形態学的異常と遺伝子変異により分類され、遺伝子変異に基づく予後・治療法が確立されつつある

※参考

MLL遺伝子転座を伴う急性骨髄性白血病（MLL再構成AML）

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

NPM1遺伝子変異を伴う急性骨髄性白血病（NPM1変異AML）

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

**MLL遺伝子転座を伴うAMLまたは
NPM1遺伝子変異を伴うAML※に対する
標的治療法は確立されておらず、新規治療法の開発が望まれている**

DSP-5336 : 急性白血病のフェーズ1/2試験（中間結果）

✓ 試験デザイン

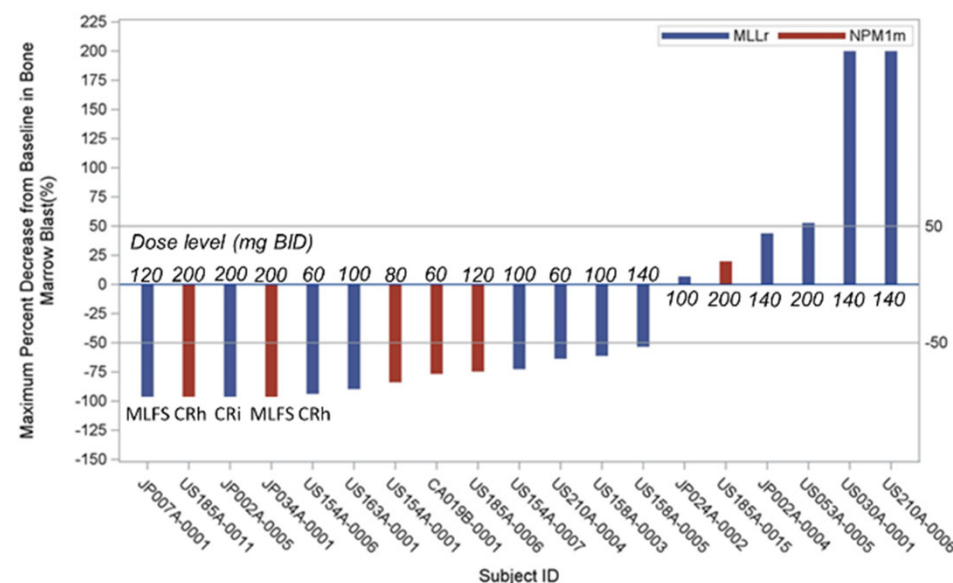
- 非盲検、用量漸増、単剤投与、フェーズ1/2試験
- 対象患者：再発または難治性の急性白血病患者
- 主な目的：安全性（フェーズ1パート）、有効性（フェーズ2パート）
- 目標症例数：70～90例（フェーズ1パート）、検討中（フェーズ2パート）

✓ 安全性（評価対象：43例）

- 用量制限毒性（DLT）は観察されず、忍容性は良好であった
- 最も認められた有害事象は、悪心、嘔吐および疲労であった
- DSP-5336と関連のあるQTc延長やその他心毒性は認められていない
- MLLrまたはNPM1m（DSP-5336標的変異）陽性の患者において、分化症候群は認められていない

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

- 骨髄芽球
 - 13例において、骨髄芽球の50%以上の低下が認められた
- 寛解
 - 部分的血液学的回復を伴う完全寛解（CRh）が2例、血球数回復が不完全な完全寛解（CRi）が1例、形態学的無白血病状態（MLFS）が2例確認された



**19例中13例で骨髄芽球50%以上の低下
寛解例も認められている**

DSP-5336 : 開発状況・今後の予定

✓ 開発段階・進捗状況 :

- 単剤フェーズ1/2（日米加、韓国、台湾、シンガポール）を実施中
- EU当局から治験実施が許可され、治験実施地域を拡大中
- 2022 年6 月に急性骨髄性白血病の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受領

✓ 今後の予定 :

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

■再生医療でなければ到達できないゴールがある

従来の医薬品

細胞や組織、臓器の機能を調節することで疾患を治療する

パーキンソン病（ドパミン神経）、脊髄損傷（脊髄神経）のように、細胞・組織・臓器が不可逆的に失われる疾患・傷害に対しては根本的な治療効果は期待できない

再生医療・細胞医薬

細胞や組織・臓器を補充、失われた機能の回復が期待できる

■当社の取組とiPS細胞を用いた再生医療の歴史

1980 1990

胎児由来細胞による細胞移植治療
(主にパーキンソン病)

ヒトES細胞の樹立

ヒト骨髄由来細胞
を用いた臨床試験

2000

2006年

京都大学山中伸弥教授らがヒト
iPS細胞の作成に成功

2007年

ヒトiPS細胞作成の論文報告

2010

2012年

京都大学山中伸弥教授
ノーベル生理学・医学賞受賞

2014年以降

iPS細胞から作成した細胞が患者さんへ
移植される
✓ 加齢黄斑変性（網膜色素上皮細胞）
✓ 移植片対宿主病（間葉系幹細胞）
✓ 角膜上皮幹細胞疲弊症（角膜上皮細胞）

2020

臨床研究・治験がぞくぞくと開始される
✓ 再生不良性貧血（血小板）
✓ 重症心不全（心筋細胞）
✓ 頭頸部がん（NKT細胞）
✓ 脊髄損傷（神経前駆細胞）

住友ファーマの取組

神経栄養因子による
神経再生の研究

セマフォリン阻害剤による
脊髄神経再生の共同研究

ヒトES細胞を用いた眼の発生の
再現*

2013年

再生・細胞医薬事業推進室発足

2014年

再生・細胞医薬神戸センター開設

2018年

商用製造プラント（SMaRT）竣工

2018年

【国内】パーキンソン病の医師主導治験
開始
（住友ファーマ：他家iPS細胞由来ドパ
ミン神経前駆細胞の提供）

2023年

【国内】網膜色素上皮裂孔（網膜色素
上皮細胞）の企業治験を開始

2024年度

【国内】パーキンソン病での上市を目
指す

2020年

【国内】網膜色素変性の臨床研究開始
（住友ファーマ：他家iPS細胞由来網膜
シートの提供）

2023年

【米国】パーキンソン病の医師主導治
験開始
（住友ファーマ：他家iPS細胞由来ドパ
ミン神経前駆細胞の提供、治験費用）

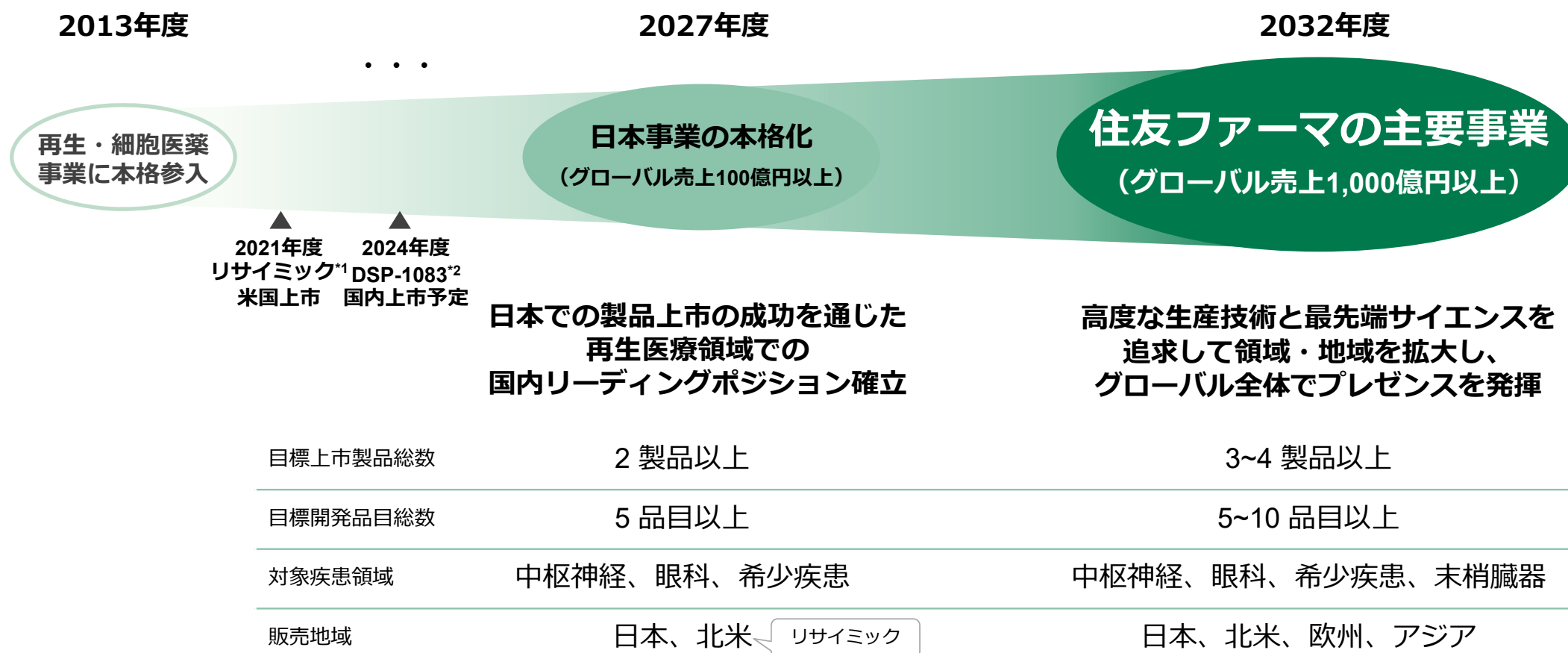
住友ファーマが支援！

* 住友化学の成果

再生・細胞医薬事業

再生・細胞医薬事業戦略

2032年度にはグローバルで1,000億円超の事業を目指している



*1 リサイミックは、小児先天性無胸腺症の免疫再構築を適応症として米国で承認を取得した培養胸腺組織製品

*2 DSP-1083は、パーキンソン病患者を対象とした他家iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞

■他家iPS細胞由来ドーパミン神経前駆細胞 米国医師主導治験開始

臨床試験の概要

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

各者の役割等

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

国内開発状況・上市目標

- ✓ 国内でも、京都大学においてパーキンソン病を対象とした医師主導治験が実施されており、2023年末をもって2年の観察期間が終了
- ✓ 承認・上市時期：2024年度中を目指す

再生・細胞医薬事業 上市・開発品目一覧（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

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

再生・細胞医薬事業

■再生・細胞医薬製品の実用化に欠かせない「高品質・安定的・大量生産」

治療を心待ちにしている多くの患者さんのために、高品質な製品を大量に安定的に生産の実現を目指す



(大阪・吹田市 2018年3月竣工)

再生・細胞医薬製造プラント SMaRT

*Sumitomo Pharma Manufacturing Plant
for Regenerative Medicine and Cell Therapy*

他家iPS細胞を使った再生・細胞医薬製品を作るための
商用製造プラント

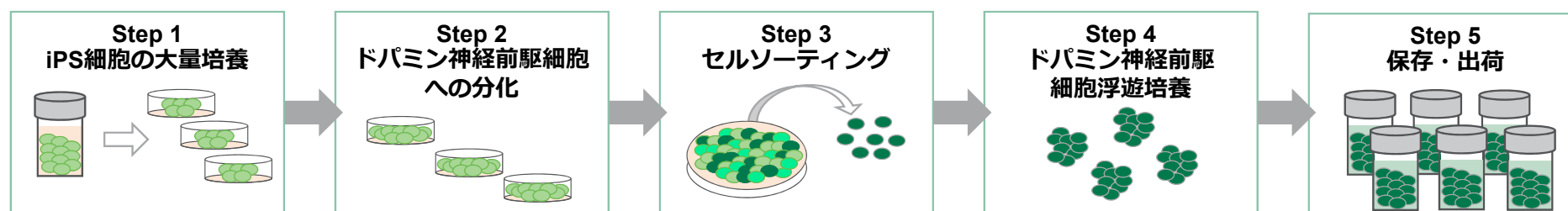
世界初！

高品質・安定的・大量生産

■再生・細胞医薬製品の商業化に向けた世界初の取組

安定した品質での大量生産を可能にするよう、製造プロセスごとに工夫を凝らしてきた

再生・細胞医薬製品の製造プロセス



従来

熟練した作業者が研究用機材で手作業で実施していたため、
作業効率が悪く、高品質な細胞を安定的大量に得ることが難しく、治験薬GMPは満たしていたが、不十分だった

住友
ファーマ
の取組

iPS細胞の大量培養・分化工程を自動化

【世界初開発】iPS細胞大量自動培養装置



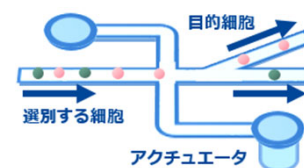
株式会社日立製作所
と共同開発

GMP製造に向けた品質の安定化

【世界初開発】高速セルソーター



米国Cytonome社
と共同開発



従来の10分の1以下の
時間で選別が可能に

凍結保存法の開発

有効性・安全性に
影響を与えない
独自の凍結保存方法
の開発



再生・細胞医薬事業

VRゴーグルの採用



- 細胞製剤の製造環境の理解者を増やすことが重要
- 清浄度維持、秘密保持の観点から容易に施設内に立ち入れない
- VRを導入してバーチャルな見学体験で解決



再生・細胞医薬事業

■細胞製品製造施設（CPC）

米国で細胞製品製造施設（CPC）を新たに竣工
（ノースカロライナ州 ダーラム近郊）



- 他家iPS細胞由来細胞医薬および「リサイミック」製造
 - ・ 総投資額：約\$34M、延床面積：3,385㎡
 - ・ 2022年8月 着工
 - ・ 2023年8月「リサイミック」製造部分 竣工
 - ・ 2024年1月 他家iPS細胞由来細胞医薬製造部分 建屋竣工
 - ・ 2025年5月「リサイミック」実製造開始予定
- 日本発のiPS細胞技術に基づく細胞医薬を世界で販売

S-RACMO専用の製造施設（CPC）「FORCE」
（大阪・吹田市 2021年12月竣工）



- 住友ファーマと住友化学が共同出資し、再生医療に特化したCDMO*事業に関する合併会社「S-RACMO」を設立（2020年9月）。
出資比率：住友ファーマ51%、住友化学49%
- 国内承認品を含めて、複数社より受注あり
- 再生・細胞医薬製品CDMO*のデファクト・スタンダードを目指す

* CDMO：製法開発・製造受託会社

参考資料

参考資料（2023年度3Q決算概要）

■主要製品売上収益（北米）

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

＜参考＞
基幹3製品
3Q計画の達成率
(百万ドル)

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

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

※ 主な一時金収入等

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

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

参考資料（2023年度3Q決算概要）

■主要製品売上収益（日本・アジア）

金額単位：億円

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

日本

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

アジア

- メロペン（中国）は集中購買の影響で減収

参考資料（2023年度3Q決算概要）

セグメント別 経営成績（コアベース）

金額単位：億円

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

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

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

日本セグメント

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

北米セグメント

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

アジアセグメント

- 減収による売上総利益の減少により、コアセグメント利益は減益

参考資料（2023年度業績予想）

■主要製品売上収益（北米）

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

【為替レート】

2023年度従来予想：1\$ = 130.00円

修正予想：1\$ = 145.00円

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

■ ラツータはジェネリックの浸透が予想より早く、減額修正

■ オルゴビクスのマーケティング状況

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

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

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

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

■マイフェンブリーのマーケティング状況

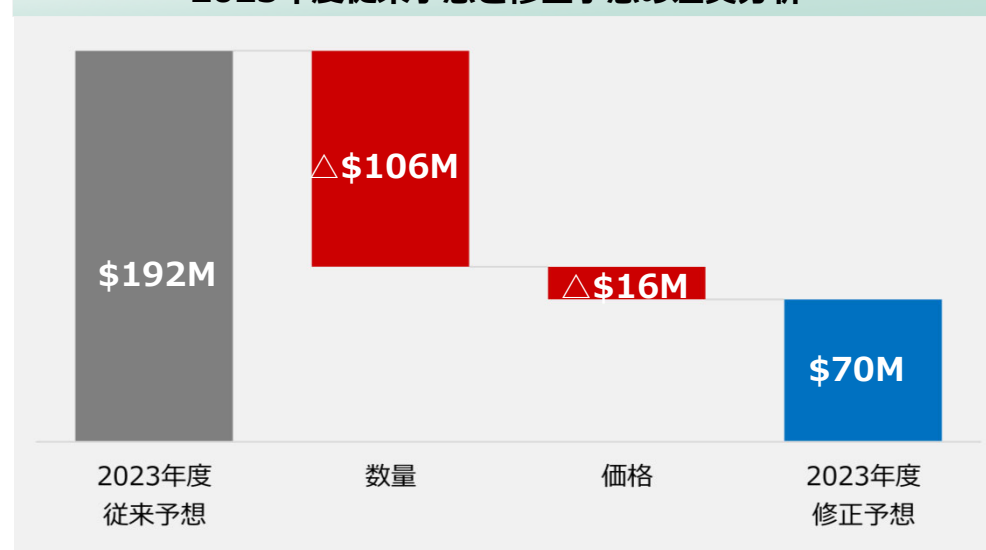
2023年度3Q 従来計画	2023年度3Q 実績	2023年度3Q 従来計画達成率	2023年度3Q実績\$49Mに対する数量、価格の影響	
\$116M	\$49M	43%	数 量	△約\$58M
			価 格	△約\$9M

- 2023年度3Qの売上収益は前年同期比 約133%増。子宮筋腫/子宮内膜症 GnRH阻害剤 2023年12月 処方箋枚数（TRx）シェア* 42%、新規処方箋枚数（NBRx）シェア* 48%（2023年3月 30%、40%）

*：出典 Symphony METYS – Data through Dec. 2023, IDV®

- 主に子宮筋腫および子宮内膜症におけるGnRH市場の拡大遅延、子宮内膜症におけるシェア拡大の遅れにより2023年度3Q従来計画は未達

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

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

■ ジェムテサのマーケティング状況

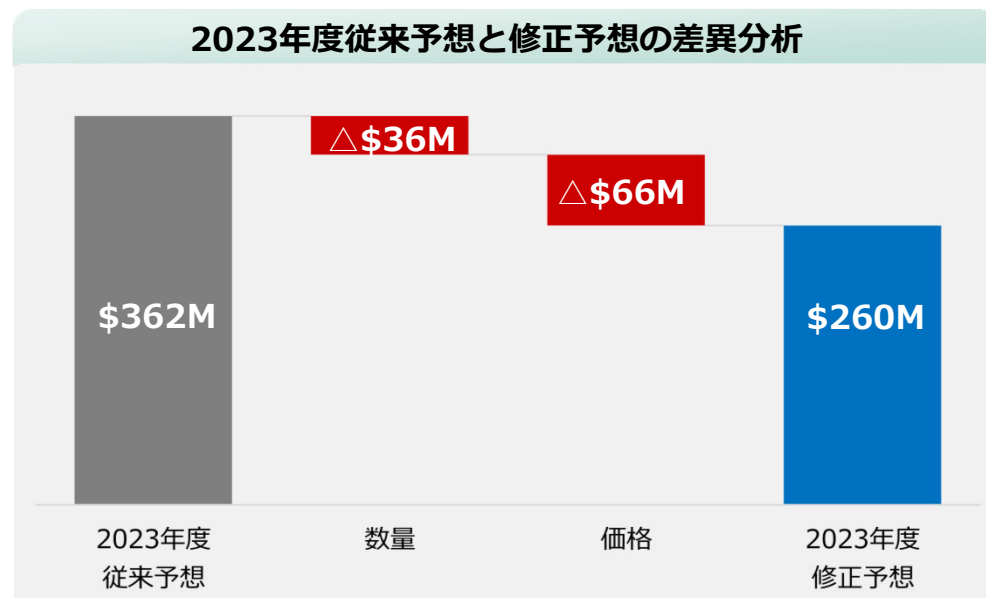
2023年度3Q 従来計画	2023年度3Q 実績	2023年度3Q 従来計画達成率	2023年度3Q実績\$174Mに対する数量、価格の影響	
\$246M	\$174M	71%	数 量	△約\$25M
			価 格	△約\$47M

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

* Source IQVIA NPA

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

2023年度従来予想と修正予想の差異分析



今後のマーケティング戦略

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

参考資料（2023年度業績予想）

■ 主要製品売上収益（日本・アジア）

金額単位：億円

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

日本

- エクア・エクメットは市場環境が厳しく減額修正

アジア

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

参考資料（2023年度業績予想）

セグメント別 業績予想（コアベース）

金額単位：億円

		日本	北米	アジア	合計
修正 2023 年度 予想	売上収益	1,158	1,611	401	3,170
	売上原価	552	594	104	1,250
	売上総利益	606	1,017	297	1,920
	販売費及び一般管理費	474	1,806	120	2,400
	コアセグメント利益	132	△789	177	△480
	研究開発費				920
	コア営業利益				△1,340
5月 2023 年度 予想	売上収益	1,141	2,088	391	3,620
	売上原価	542	688	90	1,320
	売上総利益	599	1,400	301	2,300
	販売費及び一般管理費	477	1,603	120	2,200
	コアセグメント利益	122	△203	181	100
	研究開発費				840
	コア営業利益				△620
増 減 額	売上収益	17	△477	10	△450
	販売費及び一般管理費	△3	203	△0	200
	コアセグメント利益	10	△586	△4	△580
	研究開発費				80
	コア営業利益				△720

日本セグメント

- 売上収益の増加を見込み増益

北米セグメント

- 売上収益の減額修正の影響が大きく減益

アジアセグメント

- 現地通貨ベース売上収益の減少の影響で減益

2023年度の主なイベント／目標（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

精神神経

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

がん

- 初期開発品の開発推進

その他

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

フロンティア

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

参考資料（研究開発）

■主な開発品目一覧（2024年1月31日現在）

：精神神経領域 ：がん領域 ：その他領域

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

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

*フェーズ2/3試験

参考資料（研究開発）

製品上市目標（2024年1月31日現在）

精神神経領域 がん領域 その他領域

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

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

*1 今後の統合失調症の開発方針を踏まえて上市目標時期を見直す予定

*3 治験の状況を踏まえて上市目標時期の見直しを検討中

*2 連携先との合意でない当社の目標

*4 上市目標時期を見直し中

参考資料（研究開発）

製品上市目標（フロンティア事業）（2024年1月31日現在）

2023年10月以降の変更部分は赤字で示しています

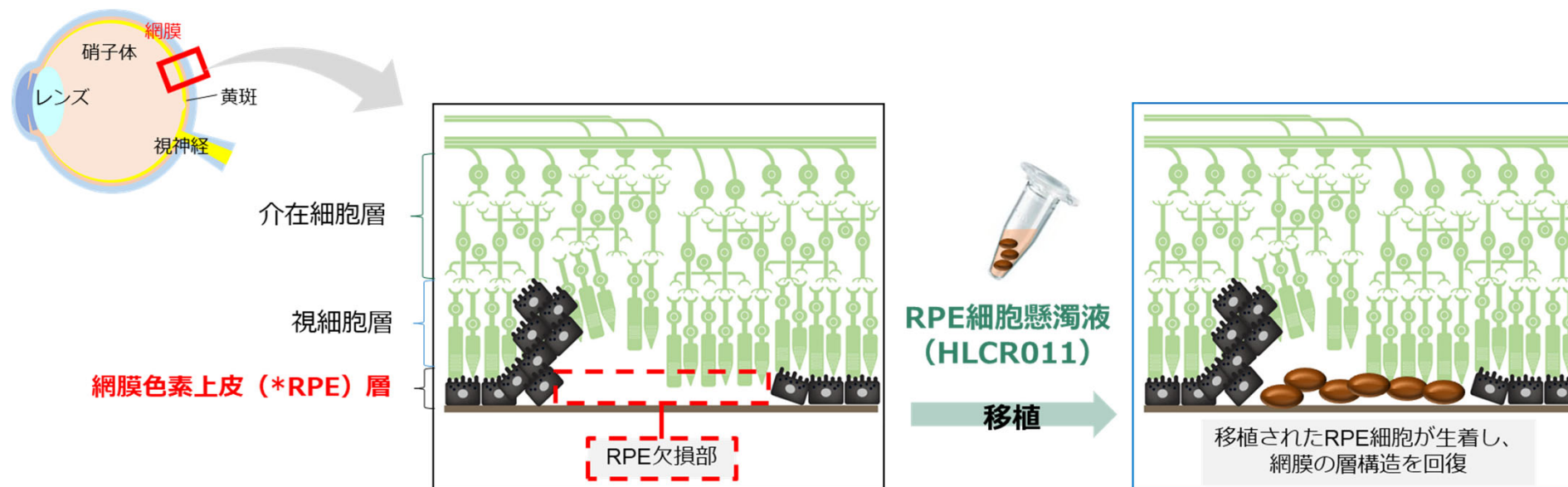
	2023年度	2024年度	2025年度	2026年度	2027年度
VRコンテンツ (BehaVR社)				社交不安障害 	その他適応での VRコンテンツ
MELTz® (株)メルティンMMI)			「MELTz® Portable」 (手指運動トレーニング システム) 		
ウェアラブル 脳波計 (株)ニューロスカイ)		うつ 			うつ 
バイオレットライト (株)坪田ラボ)			うつ・認知症 		うつ・認知症 

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

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

参考資料（再生・細胞医薬事業）

■再生・細胞医薬製品：HLCR011 国内臨床試験



網膜色素上皮裂孔：

- ✓ 加齢黄斑変性等に起因し、網膜色素上皮（RPE）細胞層が断裂、収縮し部分的に欠損する病態
- ✓ 視野の欠損や、視力低下を引き起こすが、現在、本病態に対する治療法は確立されていない。RPE細胞が欠損しているが視細胞の機能が保たれている場合、RPE細胞移植による視機能の維持・回復が期待できる

国内での網膜色素上皮裂孔の患者数：

- ✓ 年間約3,000人（当社試算）

■再生・細胞医薬製品：HLCR011国内臨床試験

臨床試験の概要

被験製品	HLCR011：iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞懸濁液
開発段階	フェーズ1/2
対象患者	網膜色素上皮裂孔を有する患者
治験デザイン （目標症例数）	Part 1：非遮蔽、非対照（HLAミスマッチ被験者1名） Part 2：非遮蔽、ランダム化（投与群、観察群 各群10名、計20名）
主要評価項目	網膜色素上皮裂孔患者にHLCR011を網膜下投与したときの安全性 （有害事象の発現者数および割合）
副次評価項目（有効性）	視機能評価

上市目標時期（条件及び期限付承認）

- ✓ 結果次第ではあるが、顕著な有効性が認められれば、本臨床試験のみでの承認申請の可能性もある
- ✓ 今後の臨床試験実施施設および患者の組み入れ状況などの本臨床試験の進捗を踏まえて検討し、上市目標時期を適切な時期に見直す予定

