



そせい事業内容

免責事項

本資料は、そせいグループ株式会社およびその子会社(以下、総称して「当社グループ」)に関する本資料作成時の一般的な情報を記載しています。本資料は、情報提供を目的としたものであり、有価証券の投資勧誘や投資アドバイスとして解されるべきものではありません。本資料は、受領者の具体的な投資目的、財務状況、または特定のニーズに合わせて作成されたものではありません。また、第三者による有価証券の評価またはその募集の根拠を提供することを意図しておらず、何らかの有価証券の申込または購入を推奨するための資料ではありません。

本資料の情報は、要約であり全情報ではありません。一部の情報は、公開情報源から入手されています。当社グループは、明示的あるいは黙示的に関わらず、本資料に含まれている情報の正確性、公平性、または完全性に関して一切表明または保証せず、当該情報の正確性、公平性、または完全性に頼るべきではありません。当社グループは、新しい情報および/または将来の出来事に照らし合わせて本資料を更新する責任または責務を負いません。また、当社グループは、改訂または変更を通知する義務を負うことなく、自己の裁量により本資料の内容を任意の方法で改訂、修正、または変更できます。

本資料には、1933年の米国証券法のセクション27A(改定を含む)および1934年の米国証券取引所法のセクション21E(改定を含む)で定義されている「将来予測に関する記述」が含まれています。「信じる」、「期待する」、「予測する」、「意図する」、「計画する」、「目指す」、「見積もる」、「予定である」、「可能性がある」、およびこれらと同様の表現は、将来予測に関する記述であることを示しています。本資料に含まれている過去の事実以外のすべての記述は、将来の経営に関する当社グループの財務状況、事業戦略、経営計画および目標(当社の製品に関わる開発計画および目標を含む)を含め(ただし、それだけに限定されない)、将来予測に関する記述です。当該将来予測に関する記述には、既知および未知のリスク、不確実性、その他の要因が含まれているため、当社グループの実際の結果、業績、または実績は、当該将来予測に関する記述に含まれたり示唆されたりしている将来の結果、業績、または実績と大きく異なる場合があります。当該将来予測に関する記述は、当社グループの現在と将来の事業戦略および将来の事業環境に関する数多くの想定に基づいています。当社グループの実際の結果、業績、または実績と将来予測に関する記述の内容とに大きな違いをもたらす重要な要因として、特に製品の創薬と開発に伴うリスク、臨床試験に関わる不確実性、期待よりも遅い被験者の募集、患者に対する当社グループの製品の投与に起因する予期しない安全性の課題、製品の製造に関わる不確実性、当社グループの製品の市場の受け入れ不足、成長を管理する当社グループの能力欠如、当社グループの事業分野および市場に関わる競争環境、適切な資格を有するスタッフを確保・維持する当社グループの能力欠如、当社グループの特許および所有権の法的強制力または保護の欠如、当社グループと関係会社の関係、当社グループの製品を陳腐化させうる技術の変化および発展、その他の要因が挙げられます。これら要因には、東京証券取引所および日本の金融庁へ提出された当社グループの開示済み報告書に記載された要因が含まれますが、それだけに限定されません。当社グループは、将来予測に関する記述に含まれている期待および想定は当社グループの経営陣が現在入手できる情報に適切に基づいていると考えていますが、一部の将来予測に関する記述は、結果として不正確となりうる将来の出来事に関する想定に基づいています。将来予測に関する記述は、本資料の日付の時点のものであり、当社グループは、新しい情報が将来入手できた場合でも、将来予測に関する記述を更新したり改訂したりする義務を負いません。

本資料は、何らかの有価証券の勧誘を構成するものではありません。本資料およびその内容は、いかなる契約または確約の根拠となりません。本資料の受領者は、本要約の内容を法律、税金、または投資のアドバイスと解釈してはならず、それに関しては自己のアドバイザーへ相談すべきです。

本資料およびその内容は機密情報であり、当社グループの書面による事前同意を得ることなく、全部または一部を複製、公開、その他の形で配布してはなりません。当該資料は、いずれかの司法管轄区または国の個人または組織に対して現地の法律または規制に違反して配布される、またはそれにより使用されることを意図していません。

本資料には、非GAAP財務データが含まれています。本資料に含まれている非GAAP財務データは、IFRSに従って計算された財務実績のデータではなく、IFRSに従って決定される利益または営業利益の差し替えまたは代用、業績の指標、または営業活動により生み出されるキャッシュフローの差し替えまたは代用、または流動性の基準として捉えるべきではありません。非GAAP財務データは、IFRSに従って報告された当企業の実績の分析の代用としてではなく、それに追加して扱うべきです。

本資料の「会計年度」は、2018年1月1日より前の期間に関しては各年の4月1日から翌年の3月31日までの12カ月間および2017年4月1日から2017年12月31日までの9カ月間を意味します。当企業は、2018年1月1日以降、会計年度を1月1日に始まる12カ月間に変更しています。本資料で言う「会計年度」は、それに従って解釈すべきです。

「Sosei Heptares」は、東京証券取引所に上場しているそせいグループ株式会社のコーポレートブランドです。「そせい」、「Heptares」、当社グループのロゴおよびStaR®は、当社グループの商標または登録商標です。

個人投資家様向けIRセミナー

① バイオセクター入門

10/4(火) 実施済

② そーせいの事業内容

本日

- 本日は当社の事業内容をお話します。
- 前半45分程度の説明を行った後、口頭を中心に質疑応答を行います。
- ① バイオセクター入門については、以下のアーカイブをご参照下さい。
(<https://finance.logmi.jp/377397>)

自己紹介

野村 広之進(のむら ひろのしん)

【略歴】

2003年-2007年	東北大学	薬学部
2007年-2009年	東北大学	大学院薬学研究科 生命薬学専攻
2009年-2014年	三菱総合研究所	戦略コンサルティング本部 研究員
2015年-2020年	みずほ証券	エクイティ調査部 シニアアナリスト
2020年-2022年	そーせいグループ	IR&コーポレートストラテジー部長
2022年-	同上	執行役副社長CFO



【アナリスト時代のランキング】

2016年	Thomson Reuters Analyst Award	ヘルスケア	1位(銘柄選定)
2020年	日経ヴェリタス アナリストランキング	医薬品	6位(バイオで1位)
2020年	Institutional Investor	Biotechnology&Pharmaceuticals	6位(バイオで1位)

【業界活動など】

AMED「医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)」専門委員	(2018年～)
経済産業省「バイオベンチャーと投資家の対話促進研究会」委員	(2017年～2020年)
厚生労働省「医療系ベンチャー・トータルサポート事業」審査委員	(2018年～2020年)
AMED「再生医療等製品の実用化の加速に向けた投資促進研究会」委員	(2018年)
特許庁「ベンチャー企業が適切に評価されるための知財支援の在り方に関する調査研究」委員	(2018年)

目次

1 バイオセクター入門のおさらい

2 そーせいグループの概要

3 GPCRって何ですか？

4 開発品の状況

5 今後の目標

6 質疑応答

7 参考資料

注：本資料は、当社に関する情報の提供を目的とするためのものであり、投資勧誘を目的に作成されたものではありません。また、本資料に記載された内容は、資料作成時点での当社の判断であり、その情報の正確性を保証するものではありません。投資を行なう際には、投資家ご自身の判断で行なうようお願いいたします。

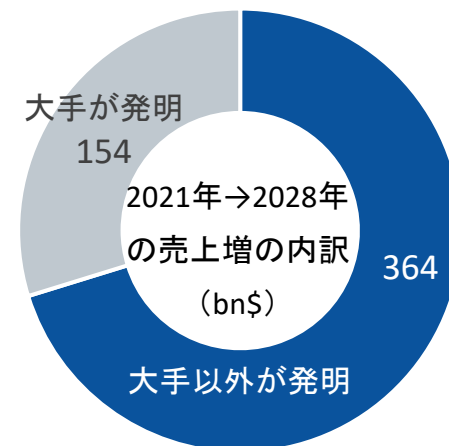
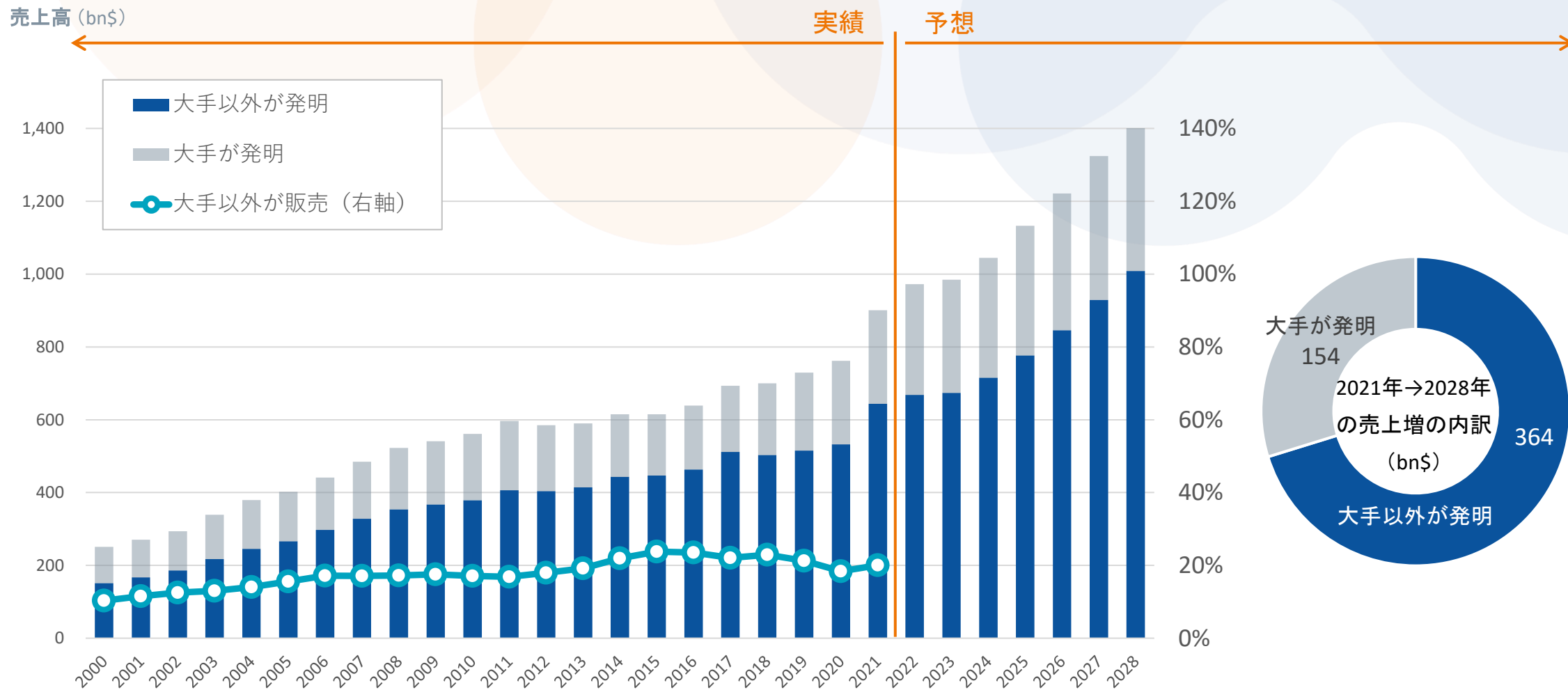


1

バイオセクター入門のおさらい

“発明者別”の医薬品の売上高の実績と予想

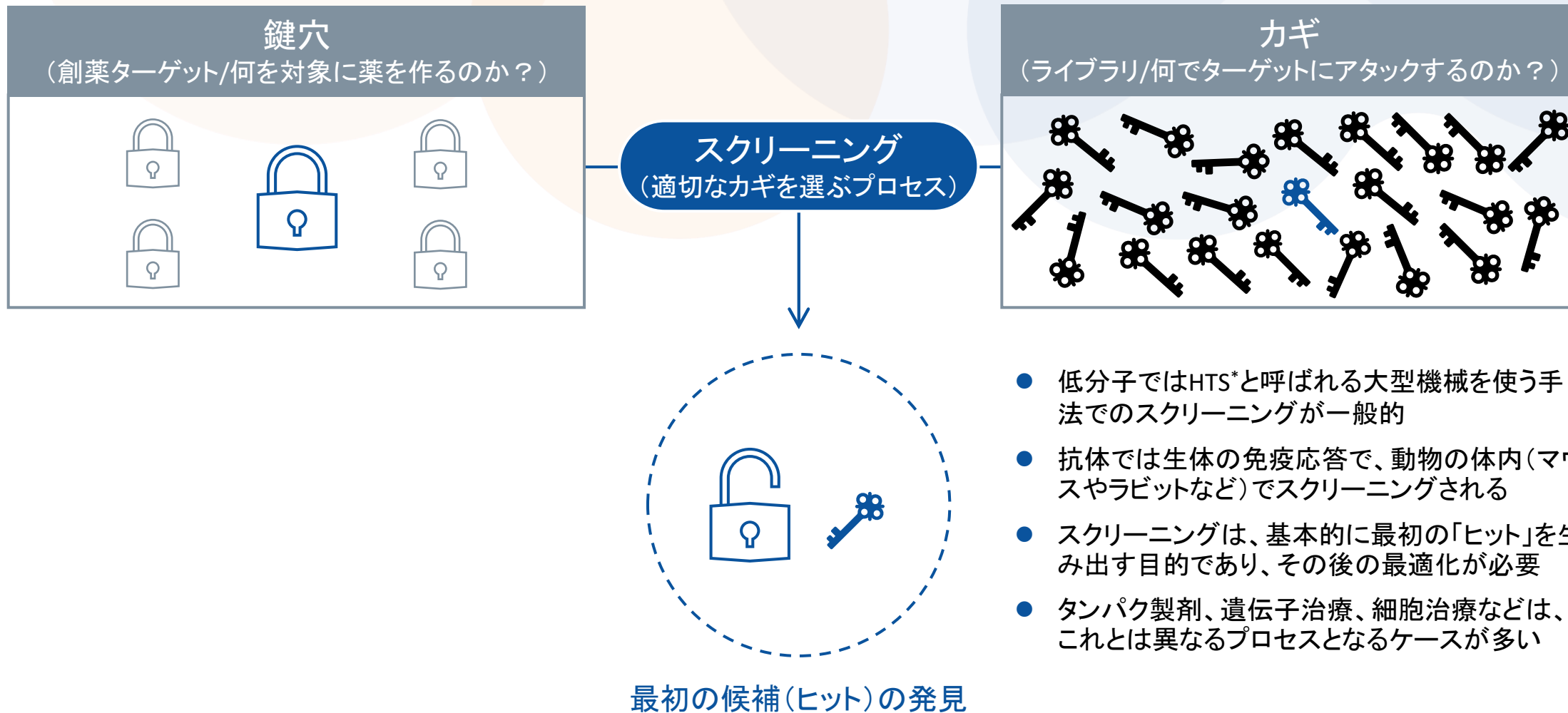
ベンチャーは医薬品の約7割の“発明者”だが、販売では約2割に留まる



*大手はEvaluate社の企業の定義で“Global Majors (Pharma)”, “Regional Major (Pharma)”, “Generic”を合算
出所: Evaluate Pharmaより当社作成

そもそも薬はどうやって見つけるのか？

創薬の基礎研究は、鍵穴(創薬ターゲット)とカギ(薬の候補)の関係に例えることができる



*High-Throughput Screening/機械を使い、高速で鍵穴に対して合うカギを実験する方法。ただ、ライブラリの数が多い場合(~数百万)には数か月程度の時間が必要

創薬ベンチャーのアプローチいろいろ

独自技術を持つ創薬ベンチャーでは、例えば以下のような方法でアプローチを試みている

創薬の課題

創薬ベンチャーによる具体的なアプローチの例

正しい鍵穴が見つからない



誰よりも早く正しい
鍵穴を見つける

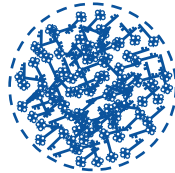


- 大学などとの共同研究や、未公開の研究成果をもとに、他社に先んじて創薬ターゲット(鍵穴)を発見する
- AIやマシンラーニングなどを駆使し、既存の膨大な研究成果から、まだ世の中で気づかれていない創薬ターゲット(鍵穴)を発見する

よいカギが見つからない



カギの種類を変える
カギを大量に用意



- これまでと異なる(種類の多い)ライブラリーや新たなモダリティ(新たなカギの種類)を生み出し、これまでに無いカギを発見する
- カギの数が増えれば、物理的にスクリーニングの手間も増えることが多いため、スクリーニングを効率化する技術とセットで開発されるケースが多い

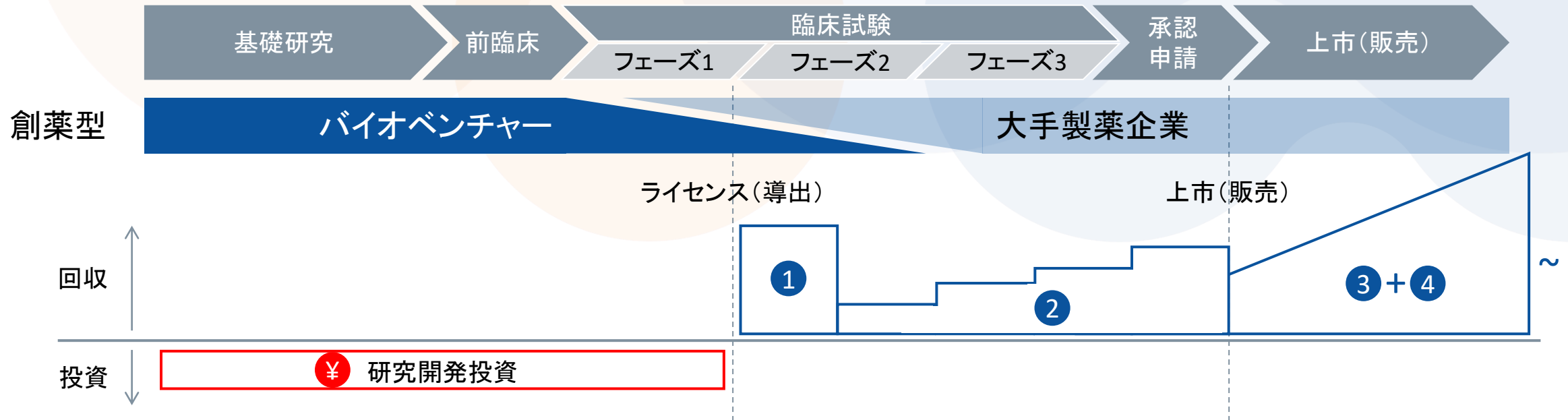
鍵穴の形を分析して
カギを生み出す



- 創薬ターゲットの詳細な立体構造(鍵穴の形)をまずハッキリさせ、それに合ったカギをコンピューター上でデザイン/スクリーニングする
- 立体構造(鍵穴の形)が分かりにくい/壊れやすいターゲットも多く、その場合には別技術との組み合わせで構造を安定化し、解析を行う

創薬ベンチャーのビジネスモデル

日本でも一般的な、創薬型ベンチャーの収入源は主に4つ



① 契約一時金	ライセンス時に受領する収入	(契約時に決まった金額)	} ディール 総額
② 開発マイルストーン	ライセンス後、研究開発の進展に応じて得られる収入	(契約時に決まった金額)	
③ 販売マイルストーン	ライセンス後、一定の売上げに達した際に得られる収入	(契約時に決まった金額)	
④ ロイヤリティ	ライセンス後、製品の売上高に応じて得られる収入	(契約時に決まった売上高の一定%)	
⑤ 研究開発支援金	ライセンス後、ベンチャーが研究開発を請け負う際の収入	(契約時に決まった時間単価等)	



2

そーせいグループの概要

そーせいグループの沿革

国内での開発品、海外での創薬プラットフォームの獲得により大きく成長

国内

元ジェネンテック社長
田村真一により設立



東証マザーズに上場
(証券コード: 4565)

1990

2004

2005

2011

2015

2018

HRA社より導入した
ノルレボが国内上市
その後、あすか製薬に権利譲渡



BioAlliance社より導入した
オラビが国内上市
その後、久光製薬が販売



海外



英アラキス社を買収
その後、2012年に当時の開発品のうち
COPD・喘息治療薬が上市しノバルティス社が販売



英ヘプタレス社を買収
ケンブリッジに研究拠点をもち、
独自のIT創薬プラットフォーム (StaR®/SBDD) を展開

当社の強み

先端科学を駆使し、困難なターゲットに対する効率的な創薬が可能に

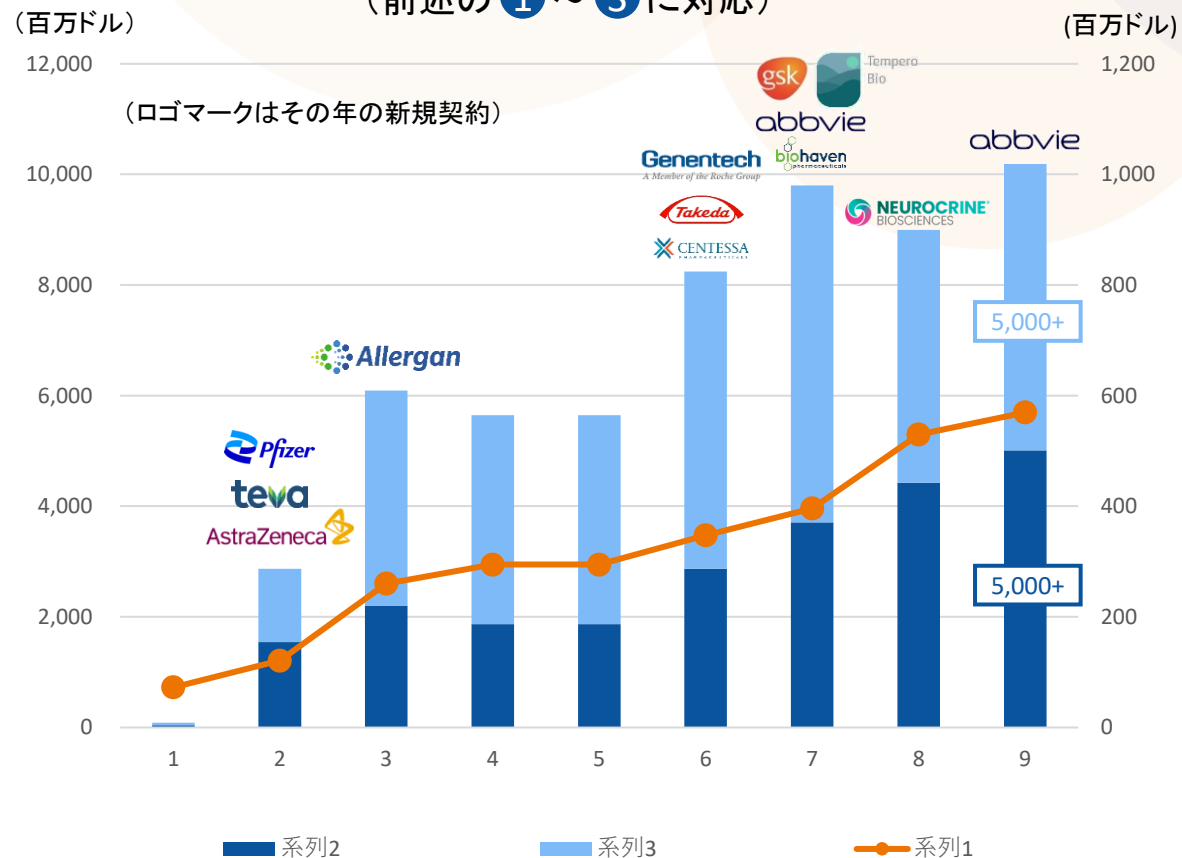
	 従来の創薬	 当社の創薬
主な創薬場所	実験室	コンピューター上
創薬方法	大型機械と人の手による 化合物スクリーニング (HTS ¹)	IT創薬プラットフォーム (StaR [®] /SBDD ²) による新しい創薬
創薬期間 ³	平均4.5年	平均3.0年
創薬コスト ³	15百万ドル	5百万ドル
特徴 ⁴	精密な創薬がしにくい	精密な創薬を行う
ターゲット ⁴	構造が不安定なGPCRでは困難	構造が不安定なGPCRに最適

¹ HTS/High Throughput Screening。数万から数百万種類の化合物を、大型機械と人手を使い実際に創薬ターゲットと反応させることで、医薬品の候補を見つける手法。² StaR[®]/Stabilised Receptorは特にGPCRのような不安定な構造の創薬ターゲットを安定化させ構造解析などに利用する手法、SBDD/Structure-Based Drug Designは構造情報を元にコンピューター上で化合物の設計やスクリーニングを行う手法。³ ターゲット選定～前臨床試験開始前までの段階。従来の創薬についてはNATURE REVIEWS Drug Discovery(MARCH 2010)より数値を引用。⁴ ターゲットの構造を解明後に創薬することで結合部位等を狙った精密な創薬が可能であり、改良、バックアップ作成、やり直しなどがしやすく、開発成功率が高まることが期待。ターゲットとなるGPCRは創薬の約3割に相当(後述)

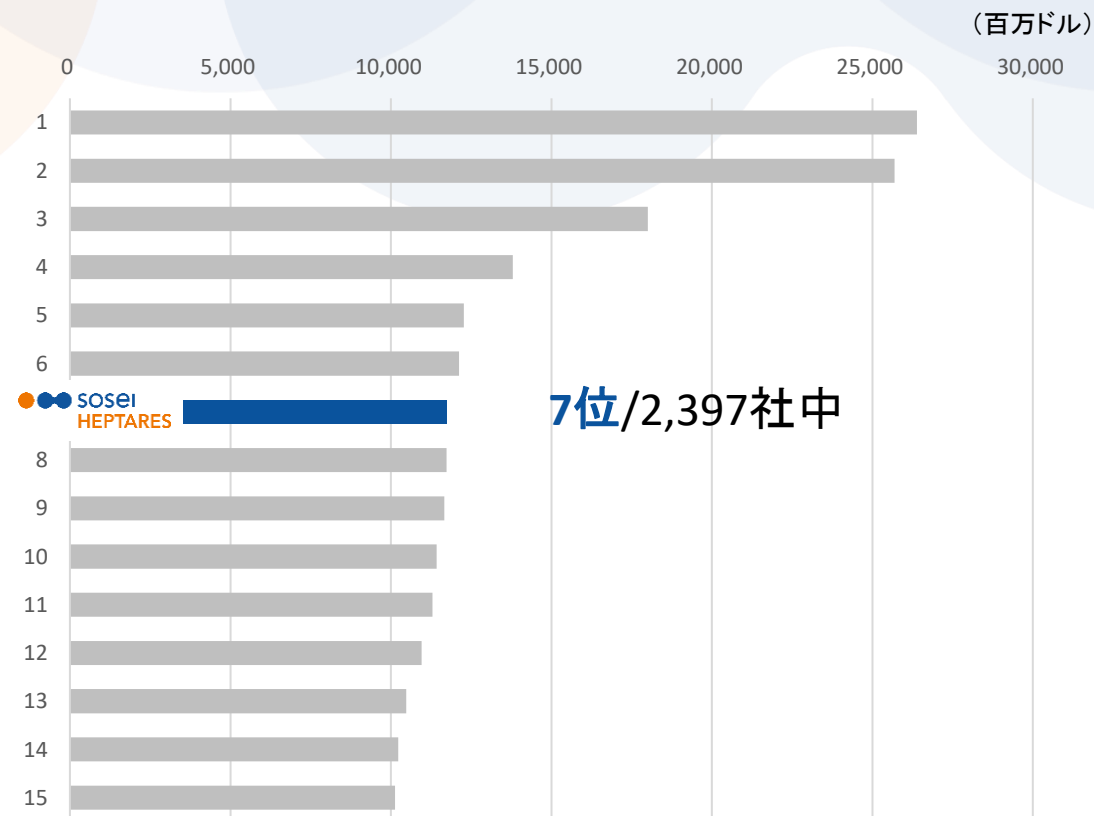
ライセンスパートナー

既存のライセンス先からの収入により、自社での再投資と成長加速を実現

既存契約のマイルストーン残高推移¹
(前述の①～③に対応)



製薬/バイオ企業のライセンス金額ランキング上位15社²
(2015年以降累計)



¹ 現在契約中のもののみの期末時点の残高。化合物が返還されたTEVA社、Abbvie社(旧Allergan社)は、それぞれ18/3期、21/12期以降の残高から除外。² 第三者(EvaluatePharma社)独自のデータベースに基づき作成しているため、左図の金額と完全に一致しない
出典: 当社資料より作成(左図)、EvaluatePharma(2022/1/18時点)より作成(右図)

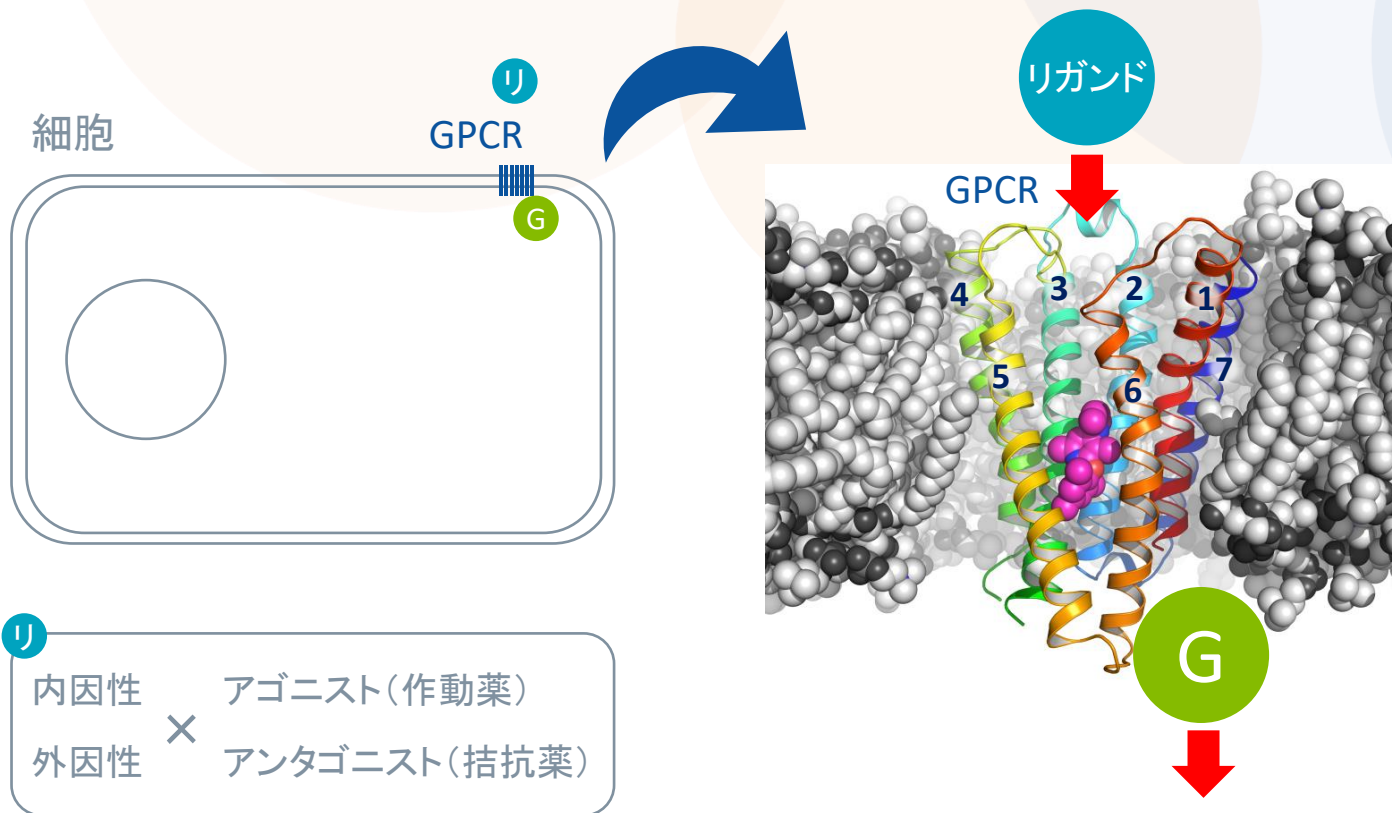


3

GPCRって何ですか？

GPCRとは？

Gタンパク質共役受容体 (G Protein-Coupled Receptor) と呼ばれ、細胞のシグナル伝達を担う



内因性 アゴニスト(作動薬)
外因性 × アンタゴニスト(拮抗薬)

GPCRの例

- アデノシン受容体
- アドレナリン受容体
- ヒスタミン受容体
- ソマトスタチン受容体
- オピオイド受容体

GPCRを対象とした薬の例



2018年に約20兆円の売上高*

GPCR = Gタンパクとくっついたり離れたりしながら、主に細胞内外でのシグナル伝達を担っているセンサー

* Pharmacogenomics of GPCR Drug Targets

出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016, "Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews, 2017等より当社作成

GPCRが当社の主要なターゲット

GPCRは最大の創薬ターゲットで、当社の技術が多くの創薬ポテンシャルを開拓可能に

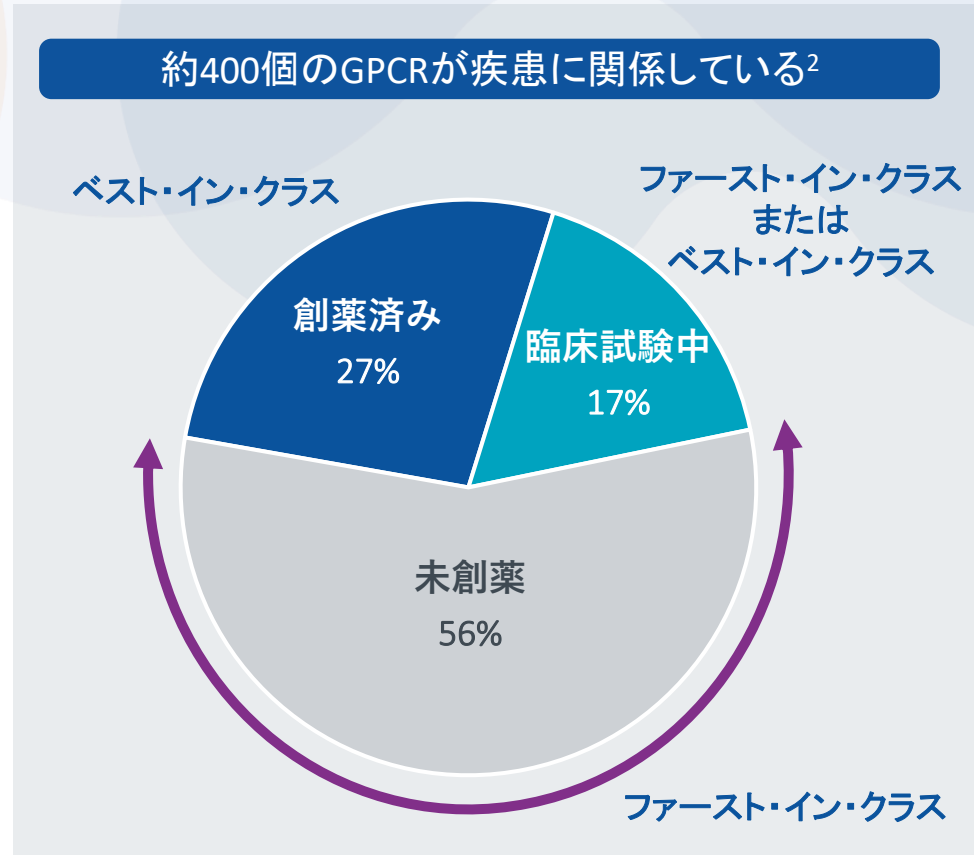
約**400**個
疾患に関係
するGPCR²

約**34%**
のFDA承認薬
がGPCRを
ターゲットに
している¹

世界の売上の
27%が
GPCR医薬品¹

- 神経疾患
- 消化器系疾患
- がん
- 代謝性疾患
- 心血管疾患
- 呼吸器系疾患

GPCRは広範な疾患に関係し、幅広い治療への可能性を秘めている

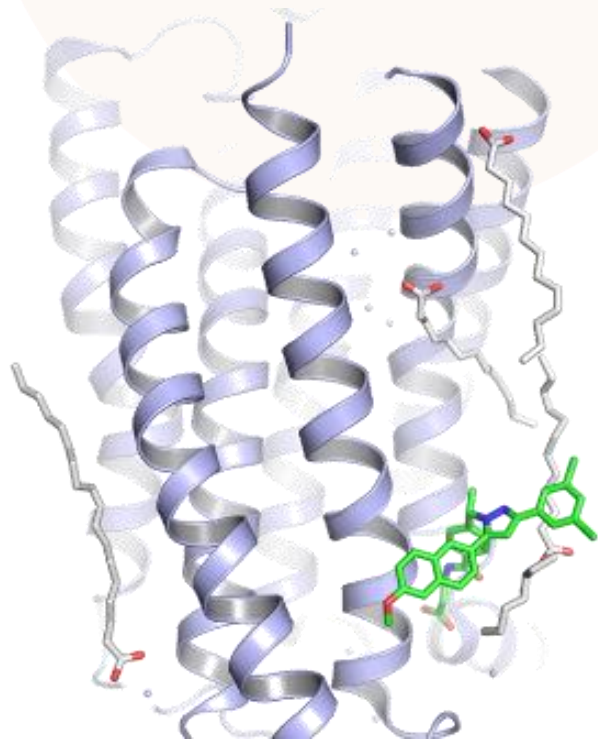


ファースト・イン・クラス、またはより改善されたベスト・イン・クラスの医薬品創出の可能性

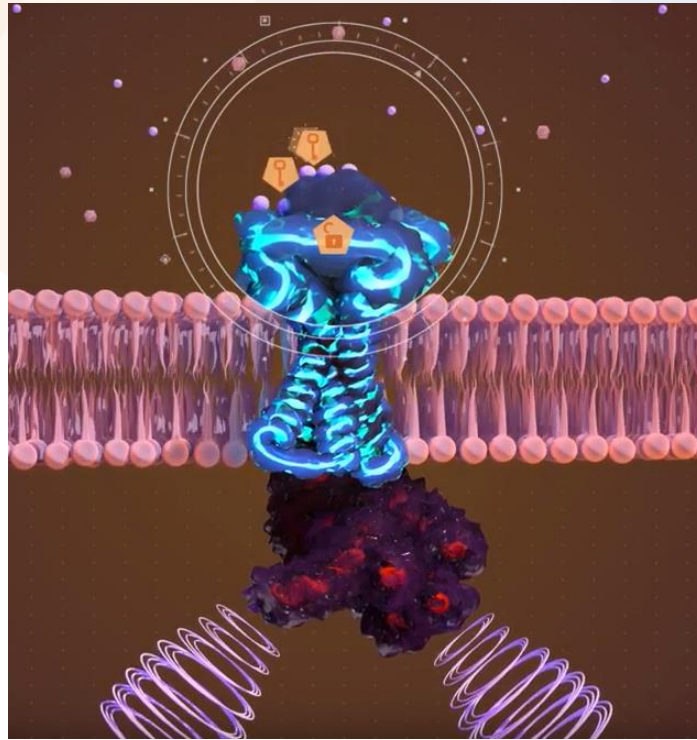
出典: ¹“Unexplored opportunities in the druggable human genome”, Nature Reviews, 2016 ²“Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications”, Nature Reviews, 2017

StaR[®]技術により高度なGPCR創薬を実現

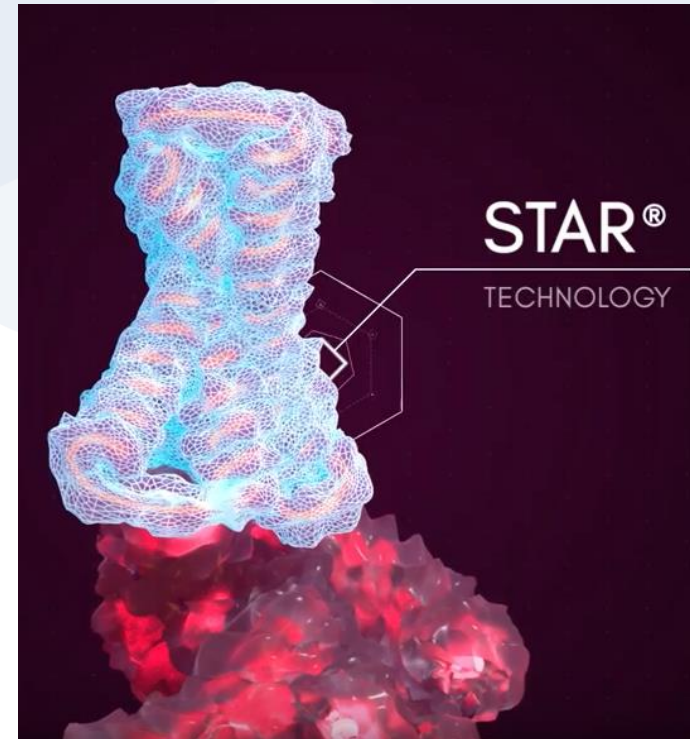
GPCRの構造を知ることで、より優れた高度な創薬が可能に



GPCRは複数の疾患領域に関わっており、幅広い治療の可能性



しかし、GPCRの構造が不安定であるという性質から創薬が困難



商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

GPCRのリスト

創薬ターゲットになりうるGPCRは398個あり、うち73個が創薬済、325個が未創薬といわれる

薬が存在するGPCR(73個)

薬が存在しないGPCR(325個)

ADORA1	CHRM1	HCRTR2	PTGER2	GCGR	HRH3	MRGPRX1	CCR2	ADCYAP1R1	ADGRG2	CCR7	FZD1	GPR135	GPR171	GPR37L1	GPR88	MCHR1	OPN4	TAAR5	TAS2R4	CHRM5
ADORA2A	CHRM2	HRH1	PTGER3	GHRHR	TRHR	CCKAR	CRHR2	ADGRA1	ADGRG4	CCR8	FZD10	GPR137	GPR173	GPR39	GPRC5B	MCHR2	OPN5	TAAR6	TAS2R40	CNR2
ADORA2B	CHRM3	HRH2	PTGER4	GLP2R	GPR55	MC1R	FFAR4	ADGRA2	ADGRG5	CCR9	FZD2	GPR139	GPR174	GPR4	GPRC5C	MRGPRD	OPRL1	TAAR8	TAS2R41	CYSLTR2
ADORA3	CNR1	HTR1A	PTGFR	HCAR2	GPFR1	NPY4R	GPR119	ADGRA3	ADGRG6	CCRL2	FZD3	GPR141	GPR176	GPR42	GPRC5D	MRGPRE	OR51E1	TAAR9	TAS2R42	FFAR1
ADRA1A	CXCR4	HTR1B	PTGIR	HRH4	GPR35	GPR68	NPY1R	ADGRB1	ADGRG7	CELSR1	FZD4	GPR142	GPR179	GPR45	GRPR	MRGPRF	OXER1	TACR2	TAS2R43	FPR1
ADRA1B	CYSLTR1	HTR1D	S1PR1	HTR1E	GPBAR1	S1PR2	P2RY4	ADGRB2	ADGRL1	CELSR2	FZD5	GPR146	GPR182	GPR50	HTR5BP	MRGPRG	OXGR1	TACR3	TAS2R45	
ADRA1D	DRD1	HTR1F	S1PR5	HTR5A	GPR18	S1PR3	PTAFR	ADGRB3	ADGRL2	CELSR3	FZD6	GPR148	GPR183	GPR52	KISS1R	MRGPRX2	P2RY10	TAS1R1	TAS2R46	
ADRA2A	DRD2	HTR2A	SMO	HTR6	HCAR1	S1PR4	GPRC6A	ADGRD1	ADGRL3	CMKLR1	FZD7	GPR149	GPR19	GPR6	LGR4	MRGPRX3	P2RY14	TAS1R3	TAS2R5	
ADRA2B	DRD3	HTR2B	SSTR1	HTR7	PTH2R	ADGRG3	GRM2	ADGRD2	ADGRL4	CX3CR1	FZD8	GPR15	GPR20	GPR61	LGR5	MRGPRX4	P2RY8	TAS2R1	TAS2R50	
ADRA2C	DRD4	HTR2C	SSTR2	MC2R	P2RY1	MC5R	GRM3	ADGRE1	ADGRV1	CXCR2	FZD9	GPR150	GPR21	GPR62	LGR6	NMBR	PRLHR	TAS2R10	TAS2R60	
ADRB1	DRD5	HTR4	SSTR3	MLNR	P2RY11	MC3R	GRM6	ADGRE2	APLNR	CXCR3	GALR1	GPR151	GPR22	GPR63	LPAR1	NMUR1	PROKR1	TAS2R13	TAS2R7	
ADRB2	EDNRA	LHCGR	SSTR5	NTSR2	P2RY13	MC4R	GRM1	ADGRE3	BRS3	CXCR5	GALR2	GPR152	GPR25	GPR65	LPAR2	NMUR2	PROKR2	TAS2R14	TAS2R8	
ADRB3	EDNRB	MTNR1A	TACR1	P2RY2	P2RY6	CRHR1	GRM4	ADGRE4P	C3AR1	CXCR6	GALR3	GPR153	GPR26	GPR75	LPAR3	NPBWR1	QRFPR	TAS2R16	TAS2R9	
AGTR1	F2R	MTNR1B		PTGDR	SUCNR1	SSTR4	GRM5	ADGRE5	C5AR1	F2RL1	GHSR	GPR156	GPR27	GPR78	LPAR4	NPBWR2	RXFP1	TAS2R19	TPRA1	
AVPR1A	FSHR	OPRD1		PTGDR2	ACKR3	NPSR1	GRM7	ADGRF1	C5AR2	F2RL2	GIPR	GPR157	GPR3	GPR79	LPAR5	NPFFR1	RXFP2	TAS2R20	UTS2R	
AVPR1B	GABBR1	OPRK1		PTH1R	CCR4	NPY2R	GRM8	ADGRF2	CALCRL	F2RL3	GPR1	GPR158	GPR31	GPR82	LPAR6	NPFFR2	RXFP3	TAS2R3	VIPR1	
AVPR2	GABBR2	OPRM1		SCTR	CCKBR	AGTR2	TAS1R2	ADGRF3	CCR1	FFAR2	GPR101	GPR160	GPR32	GPR83	LTB4R	NPY5R	RXFP4	TAS2R30	VIPR2	
BDKRB2	GLP1R	OXTR		TAAR1	HCAR3	GPRC5A	ACKR1	ADGRF4	CCR10	FFAR3	GPR107	GPR161	GPR33	GPR84	LTB4R2	NPY6R	TAAR2	TAS2R31	XCR1	
CASR	GNRHR	P2RY12		TBXA2R	GPR143	CXCR1	ACKR2	ADGRF5	CCR3	FPR2	GPR12	GPR162	GPR34	GPR85	MAS1	NTSR1	TAAR3P	TAS2R38	CALCR	
CCR5	HCRTR1	PTGER1		TSHR	BDKRB1	GNRHR2	ACKR4	ADGRG1	CCR6	FPR3	GPR132	GPR17	GPR37	GPR87	MAS1L	OPN3	TAAR4P	TAS2R39	CHRM4	

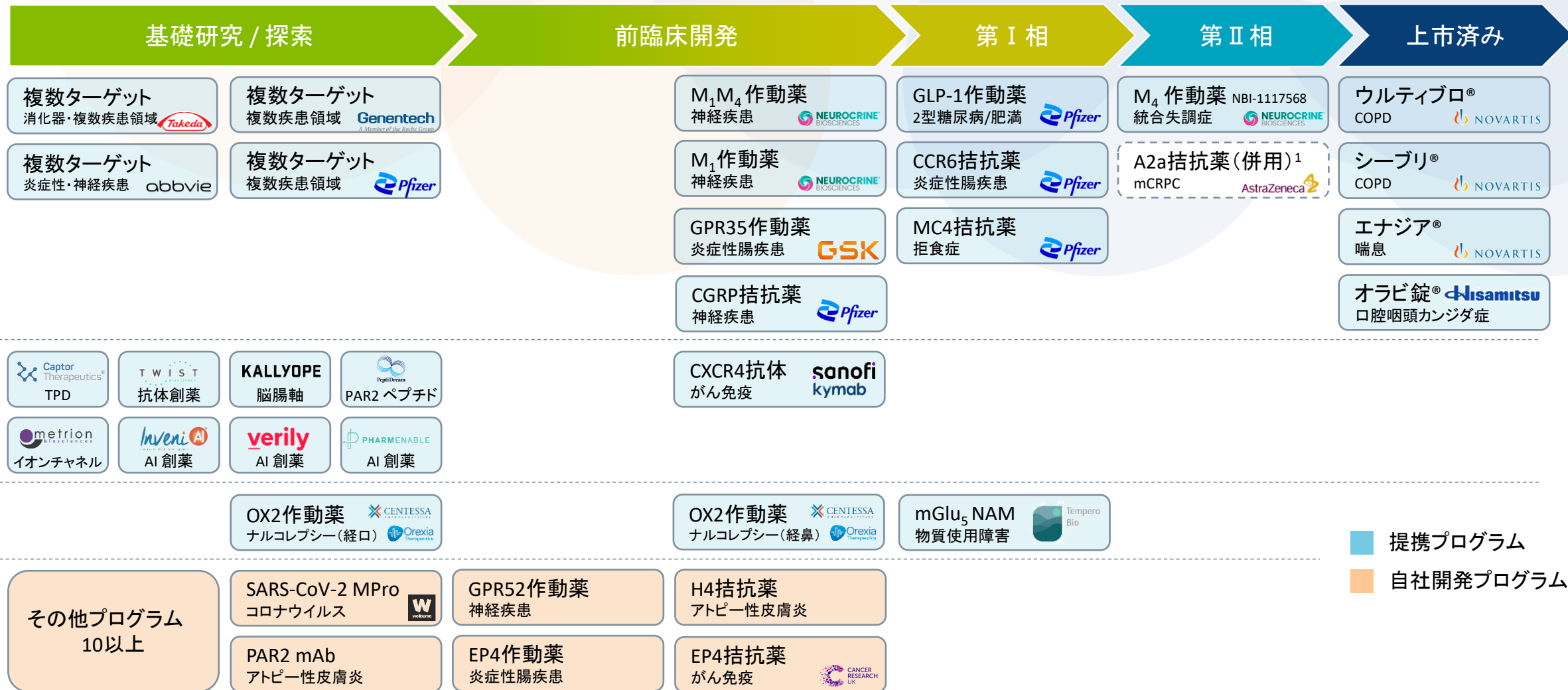
当社がターゲットにしたもの(開示分のみ。これ以外に非開示のターゲットが20個前後存在)



4

開発品の状況

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム

注: シーブリ®, ウルティプロ®, エナジア® およびブリーズヘラー® はノバルティス社の登録商標です。 ¹ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています。

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム

注: シーブリ®, ウルティプロ®, エナジア® およびブリーズヘラー® はノバルティス社の登録商標です。¹ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています。

ムスカリンM4作動薬 (NBI-1117568)

ニューロクライン社が第Ⅱ相臨床試験の開始を発表、当社は30百万ドルのマイルストーンを受領

Novel Muscarinic Receptor Agonists Collaboration with Sosei Heptares

Neurocrine Biosciences Initiating Clinical Studies for Muscarinic Portfolio

Initiating clinical studies, including:

- **Phase 2 placebo-controlled study** of NBI-1117568*, a selective M4 orthosteric agonist, as a potential treatment for schizophrenia scheduled to start in 2022
 - ✓ NBI-1117568 offers the potential for an improved safety profile:
 - ❑ Without the need of combination therapy to minimize side effects
 - ❑ Avoids the need of cooperativity with acetylcholine when compared to non-selective muscarinic agonists and positive allosteric modulators in development
- **Phase 1 study** of a dual M1 / M4 orthosteric agonist in 2023
- **Phase 1 study** of a selective M1 orthosteric agonist in 2023



*In-licensed from Sosei Heptares, formerly HTL-0016878. NBI-1117568 is investigational and not approved in any country

33



Neurocrine
BIOSCIENCES



sosei
HEPTARES

ニューロクライン社との戦略的提携

契約一時金1億ドル、最大26億ドルのムスカリン受容体作動薬を対象とした新規提携

1

ニューロクライン社は、中枢神経疾患領域の治療薬としてベスト・イン・クラスとなりうる、選択的ムスカリン受容体作動薬ポートフォリオの権利を取得

2

当社グループは、契約一時金として100百万米ドルを受領

3

当社グループは、研究開発資金に加え、開発、申請・承認マイルストーン最大15億米ドル、販売マイルストーン最大11億米ドル、さらに売上高に対するロイヤリティ（最高10%台半ば）を受領する権利を有する

4

当社グループは、日本での全ての適応症に対する全てのM1作動薬の権利を保持し、ニューロクライン社は日本での共同開発および共同販売のオプションを保有する

導出したポートフォリオ

M4作動薬
(全世界の権利)

M4/M1デュアル作動薬
(全世界の権利)

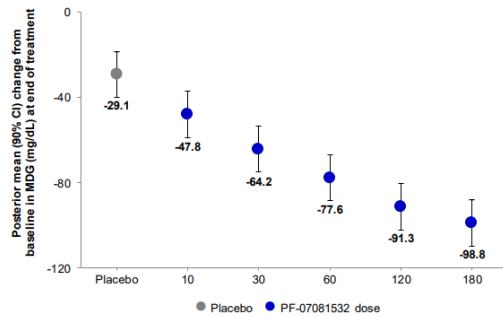
M1作動薬
(日本以外の権利)

統合失調症およびその他の神経疾患を対象とした新規ムスカリン受容体作動薬の開発

GLP-1作動薬 (PF-07081532)

ファイザー社が9月の欧州糖尿病学会 (EASD) でベストインクラスの可能性を示すデータを発表

Robust Declines in Mean Daily Glucose with Once-daily PF-07081532 in Participants with T2D

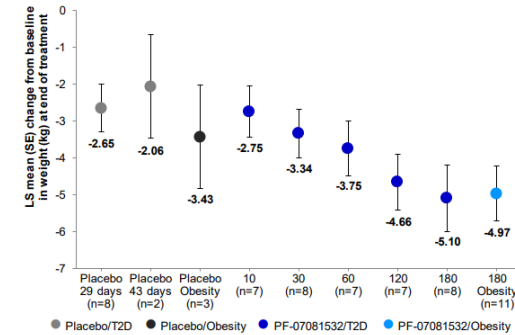


Observed mean reductions from baseline in MDG were dose-dependent

Each of the PF-07081532 doses were statistically significantly different to placebo

A Bayesian 4-parameter dose-response Emax model was applied to the change from baseline on Day 28 or Day 42. The model included stable dose as a continuous variable and baseline as a covariate. Stable dose refers to the PF-07081532 dose (or placebo) that participants received during Days 24 to 28 (29-day) or Days 38 to 42 (42-day). Placebo data were pooled across 5 T2D cohorts with 28 or 42 days of dosing. CI, confidence interval; MDG, mean daily glucose; T2D, type 2 diabetes

Dose-responsive Weight Reduction with Once-daily PF-07081532 for 4 to 6 Weeks



While longer duration of intervention is required to assess the effect of treatment on body weight, reductions were observed following dosing with PF-07081532 for 4 to 6 weeks: mean decreases from baseline of up to approx. -5.5% in participants with T2D and approx. -5.2% in participants with obesity

Baseline is defined as the pre-dose measurement on Day 1. LS, least squares; SE, standard error; T2D, type 2 diabetes

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム

注: シーブリ®, ウルティプロ®, エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。¹ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています。

複数ターゲットを対象とした創薬提携

契約期間によらず、4つのすべてのパートナーとの間でプログラムが順調に進捗

提携先	契約締結日	治療領域	ステージ	進捗
	2015年11月	複数の領域	第 I 相	6年間で3つのプログラムが臨床開発を開始
 <small>A Member of the Roche Group</small>	2019年7月	複数の領域	創薬	低/高分子医薬品のターゲット研究で3年間に5つのマイルストーンを達成
	2019年8月	複数の領域 (当面は消化器疾患に注力)	創薬	基礎研究/探索段階でマイルストーン達成
	2020年6月 2022年8月	炎症性疾患/自己免疫 神経疾患	創薬	

アッヴィ社との新規提携

複数のターゲットを対象にした提携を発表。契約一時金40百万ドル



PRESS RELEASE

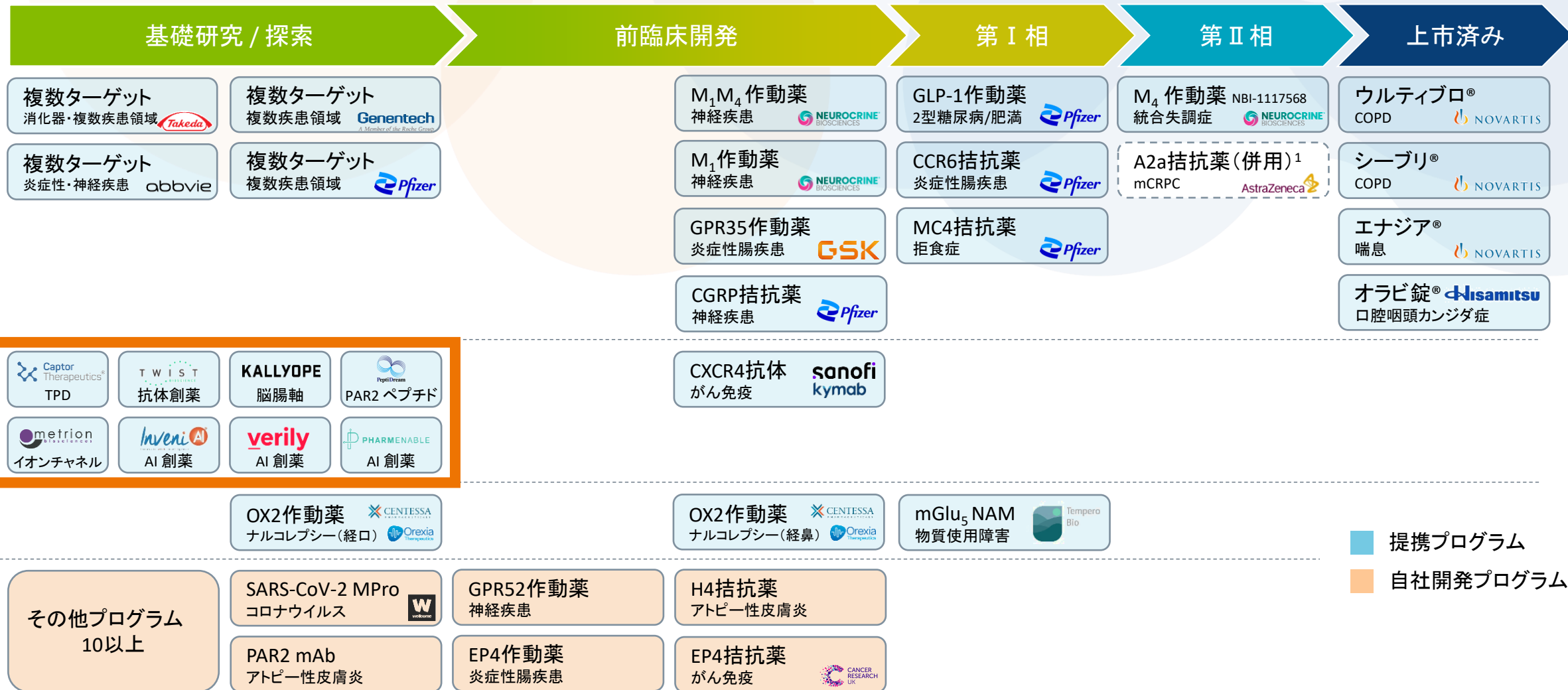
アッヴィ社との神経疾患における複数のターゲットを対象にした 研究開発・製品化に関する新規提携のお知らせ

当社グループの StaR[®] 技術と SBDD プラットフォーム
およびアッヴィ社の広範な神経科学の専門知識を活用した新たな戦略的提携
2020 年に締結した炎症性疾患および自己免疫疾患を標的とする提携に続く
アッヴィ社との 2 件目の戦略的提携

契約一時金と初期マイルストーン合計最大 80 百万米ドル、総額 12 億米ドル（最大）の
将来的なマイルストーンに加え、段階的ロイヤリティを受領する権利を有する

当社グループは、研究開発型のバイオ医薬品企業である AbbVie Inc.（以下「アッヴィ社」）と新規創薬提携およびライセンスのオプション契約を締結しましたので、お知らせいたします。この契約により両社は、神経疾患を対象に、G タンパク質共役受容体（以下「GPCR」）に作用する低分子の研究開発と商品化を目指します。

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム

注: シーブリ®, ウルティプロ®, エナジア® およびブリーズヘラー® はノバルティス社の登録商標です。¹ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています。

戦略的提携の位置づけ

新しい創薬手法を牽引する業界内のコラボレーション



標的GPCRの発掘

verily

Inveni AI
Innovate with Intelligence

KALLYOPE

当社の基盤技術

StaR®	SBDD
CryoEM	DEL Screening
Protein Binder Toolkit	

治療薬候補の創出

PHARMENABLE

metrion biosciences

TWIST BIOSCIENCE

Captor Therapeutics®

PeptiDream

kymab

戦略的提携パートナー①

新規GPCRターゲットの発掘と検証

2021年～



AI 創薬(ターゲット探索)

- InveniAI 社の AI を活用した標的探索プラットフォームと、当社グループのGPCR構造ベース創薬および初期開発能力を組み合わせた研究開発提携
- 免疫疾患領域における新規治療薬のコンセプトを特定し、既に市販されている免疫治療薬より反応性が改善された新規化合物創出を目指す

免疫領域/複数ターゲット

2022年～



AI 創薬(ターゲット探索)

- Verily 社の持つ免疫プロファイリング能力と当社グループのStaR®技術およびSBDDプラットフォームを組み合わせた研究開発提携
- 免疫細胞に発現するGPCRを同定し、その機能的関連性に対する理解を深め、免疫疾患における創薬ターゲットとなり得る物質探索を目指す

免疫領域/複数ターゲット

2022年～



脳腸軸(ターゲット探索)

- Kallyope社の脳腸軸を対象としたプラットフォームと、当社グループのGPCR構造ベース創薬および初期開発能力を組み合わせた戦略的研究開発提携
- 消化器系疾患の新規GPCRターゲットの同定、優先順位付け、検証を行い、これらのターゲットに作用する新規低分子を創出することを目指す

消化器領域/複数ターゲット

戦略的提携パートナー②

当社の創薬プラットフォームを起点に、新たなモダリティに応用範囲を拡大

2016年～

kymab

(現在はSanofi社の一部)

抗体創薬

- 主にがん免疫療法の領域において複数のGタンパク質共役受容体(GPCR)をターゲットとした新規抗体薬の研究開発並びに商業化に関する提携
- Kymab社は抗原を接種することで、Kymouse™と呼ばれる同社のヒト抗体探索技術により、抗体を作製します

‘CXCR4抗体’の開発が進行中

2017年～



ペプチド創薬

- 炎症性疾患の治療において重要な役割を持つGPCRを標的とする戦略的提携契約
- ペプチドリーム社は、独自の創薬開発プラットフォームシステム：PDPSの技術を用いて、GPCRターゲットに対する特殊環状ペプチドを特定します

‘PAR2 ペプチド’の開発が進行中

2021年～



抗体創薬

- ツイスト社が保有する合成抗体ライブラリおよび高度なバイオインフォマティクスの専門知識と当社グループのStaR®技術を組み合わせた創薬共同研究開発
- 当社グループが特定したGPCRに対する抗体医薬品の創薬を目指す

特定のGPCR/複数ターゲット

戦略的提携パートナー③

新たな創薬手法や、GPCRと同じ膜タンパクの新たなターゲットへの展開を目指す



標的GPCR分解

- 消化器疾患の有力な治療薬として標的GPCR分解を誘導する低分子の同定を対象とした技術提携
- さらに、GPCR-E3 リガーゼ複合体周囲の高解像度の構造情報を把握して、創薬に対する取り組み強化を目指す

消化器領域



AI 創薬（化合物設計）

- PharmEnable社のAI技術と創薬化学技術を活用した技術提携
- 神経疾患に関連する難易度の高いペプチド性GPCR標的に対する新規創薬を推進するための協業
- 2022年1月に、創薬困難だったGPCRに対して新規のヒット化合物を生成

神経領域



イオンチャンネル

- イオンチャンネルに対する創薬に当社グループのSBDD技術が応用できる可能性を示す技術提携
- 当面、神経疾患に関連する一つのイオンチャンネルに対し、新規かつ特異性の高いリード化合物の特定を目指す

神経領域

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム

注: シーブリ®, ウルティプロ®, エナジア®およびブリーズヘラー®はノバルティス社の登録商標です。¹ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています。

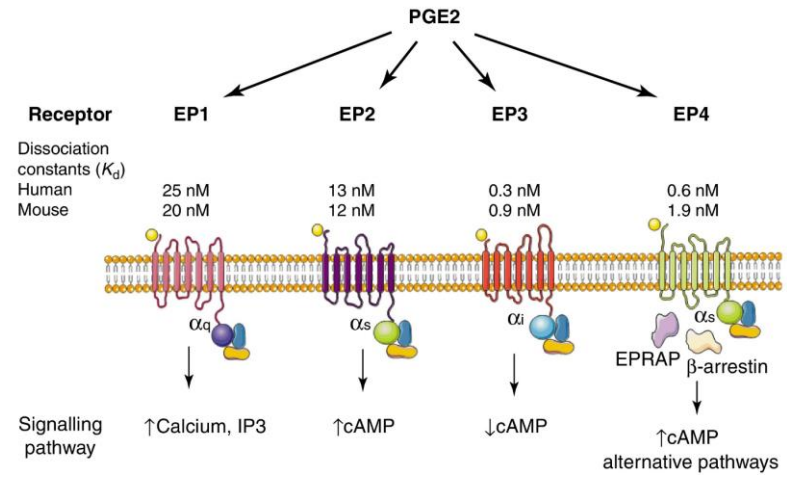
自社開発品4品目の推進

CRUKとの提携を含む優先プログラムを早期臨床試験(第I b相臨床試験)に進める

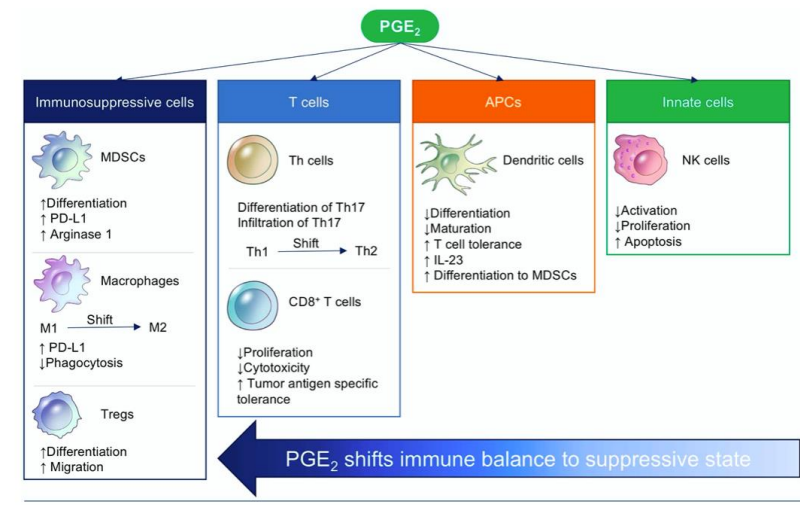
疾患とターゲット	 統合失調症 および精神疾患	 アトピー性皮膚炎	 固形がんにおける がん免疫療法	 炎症性腸疾患
	GPR52作動薬	H4拮抗薬	EP4拮抗薬	EP4作動薬
特徴	<ul style="list-style-type: none">1日1回経口投与の低分子24時間標的に作用	<ul style="list-style-type: none">1日1回経口投与の低分子単剤もしくは併用にて投与	<ul style="list-style-type: none">1日1回経口投与の低分子チェックポイント阻害剤と併用にて投与CRUKと提携	<ul style="list-style-type: none">経口投与、消化管に限定的に作用良好な有効性と選択性消化管全体への影響は最小限
臨床開始目安	2023年上期	2023年上期	2023年上期 	2023年末

EP4: 様々な治療への応用が期待されるGPCR

EP4はPGE2が作用する最も重要な受容体

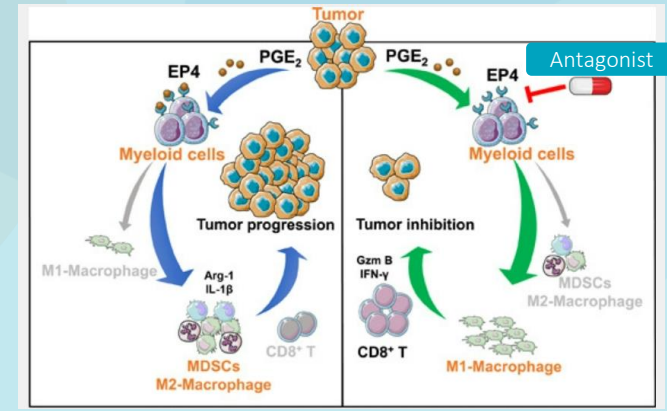


強力な抗炎症作用



Source: Figure adapted from Wang and Dubois, Role of prostanoids in gastrointestinal cancer, J Clin Invest, 2018

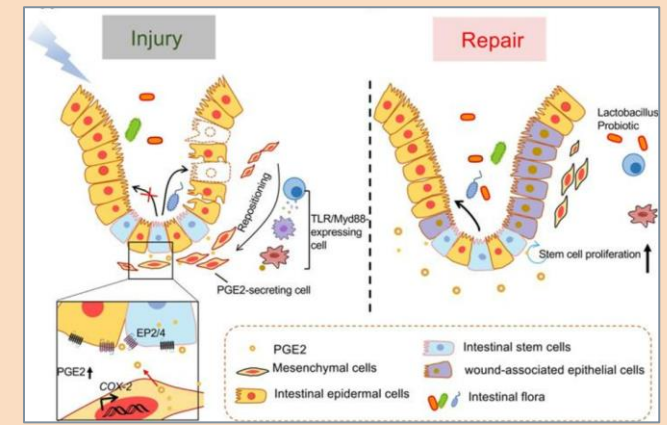
EP4拮抗薬



がん免疫

プロジェクトの仮説
免疫監視機構の回復
とチェックポイント阻害剤の有効性向上

EP4作動薬



炎症性腸疾患

プロジェクトの仮説
炎症を鎮める
腸の恒常性回復
粘膜の治癒を促進



5

今後の目標

そせいグループのビジョン

世界をリードするサイエンスで、人生を変える医薬品を生み出します

長期的に注力

日本品質

サイエンスに立脚した開発と
事業推進で革新的な医薬品を
患者さまに届ける

世界をリードするサイエンス

人生を変える医薬品

短・中期的に注力

欧米のイノベーション

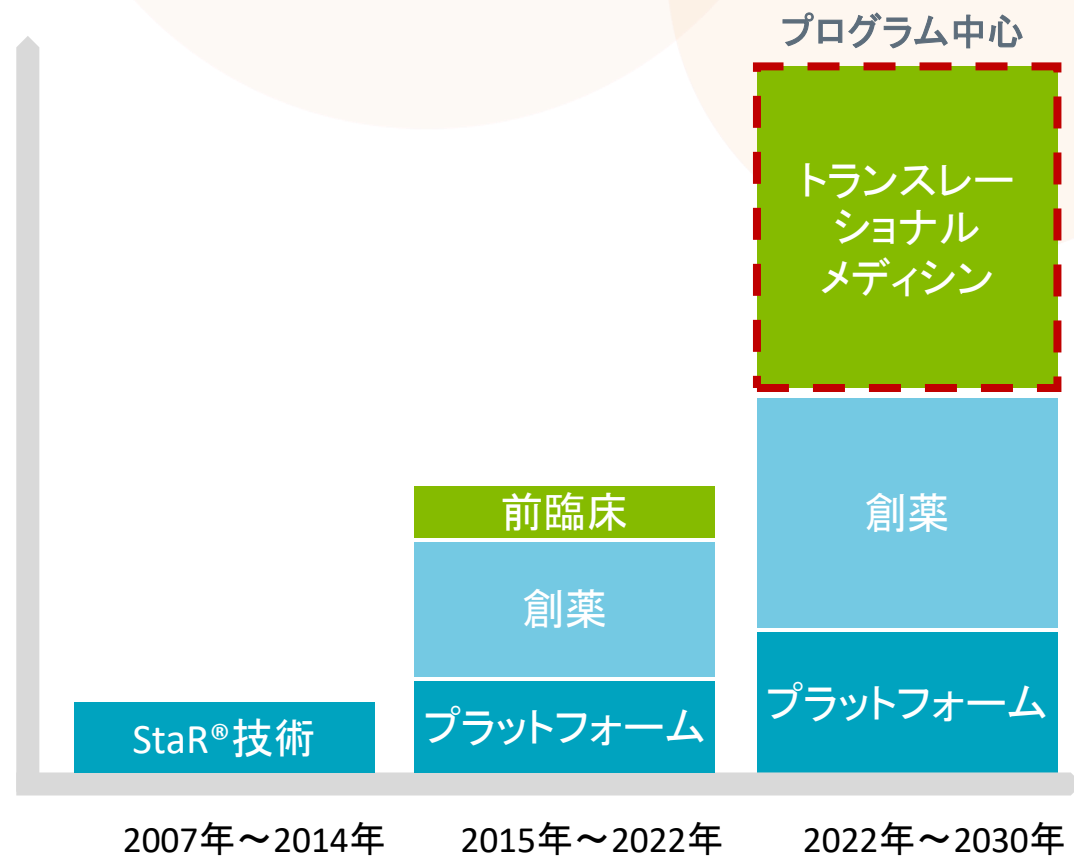
世界最高水準のサイエンス・
プラットフォームで
人生を変える医薬品を創出



研究開発の変革

トランスレーショナルメディシンの重視は、ライセンス契約の価値を高め、今後の成長を牽引

企業価値

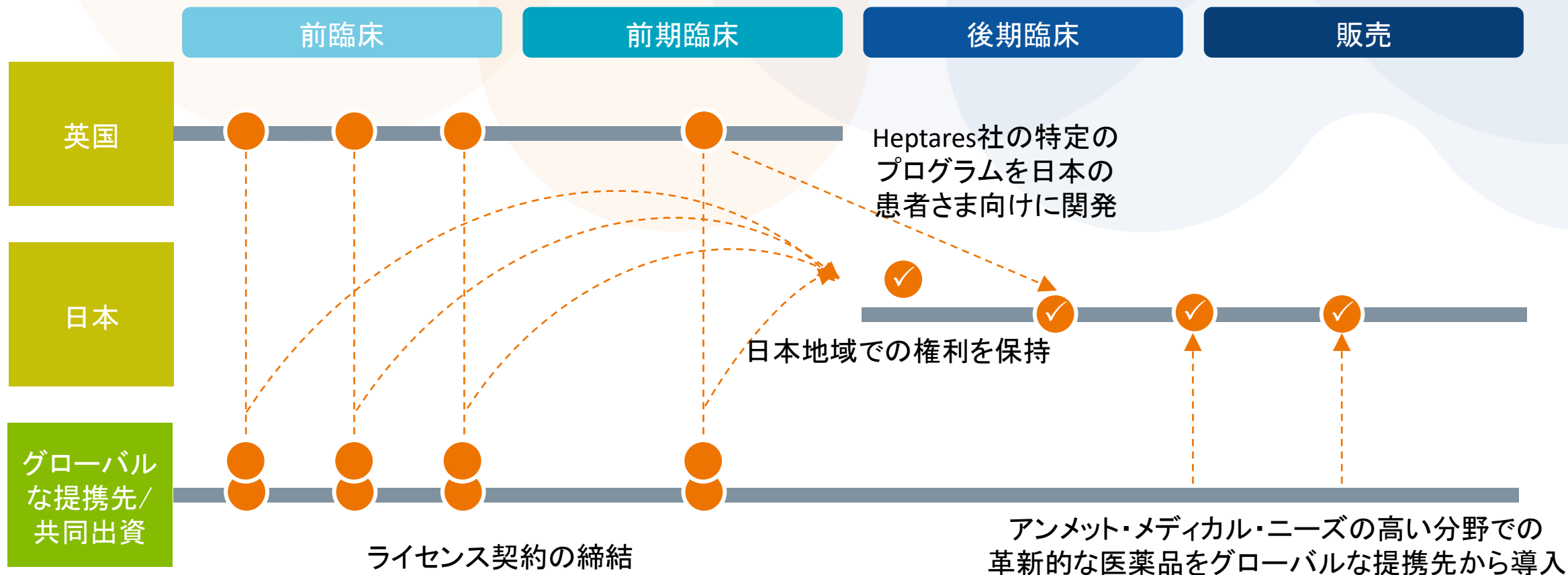


アライアンス規模



日本事業の活性化

長期的に日本の患者さまに薬を届けるべく、アンメット・ニーズの大きな後期パイプラインを拡充



日本企業として日本および世界の患者さまに革新的な医薬品をお届けすることを重視

6

質疑応答

質疑応答でご注意いただきたいこと

- 本日は当社の事業内容に焦点を当てたセッションですが、前回のセクター全体像に追加のご質問があれば、時間配分を考慮したうえでお答えしたいと思います。ただ、当社以外の個社への具体的なご質問はご遠慮ください
- 時間を有効に使うべく、ご質問はお一人様、1回につき1トピックでお願いします。ただし、同じトピック内であれば、私の回答への再質問は何度でもOKです。別のトピックのご質問は、再度の挙手をお願いします
- 質問については何卒、簡潔にお願いできればと思います。私も、極力簡潔にお答えするように努力します。参加者の皆様と、できるだけ実りの大きな会にしたいと思っていますので、ご協力をお願いします



7

參考資料

潜在市場規模

前臨床試験以降の開発品だけでも、最終製品はピーク売上高が数兆円のポテンシャル

カテゴリー	疾患名 ²	患者数	ピーク売上高(百万ドル)		当社開発品
			市場全体	個別製品	
神経疾患	認知症	約5,500万人	73億ドル (2010)	39億ドル (2009/Aricept)	M1 作動薬、M1/M4 作動薬
	統合失調症	約2,000万人	207億ドル (2011)	57億ドル (2013/Abilify)	M4 作動薬、M1/M4 作動薬
	物質使用障害	約1,040万人 ¹	-	-	mGlu5 NAM
	ナルコレプシー	約300万人	22億ドル (2021)	17億ドル (2020/Xyrem)	OX2 作動薬
	その他の神経疾患	-	-	-	CGRP 拮抗薬、GPR52 作動薬
免疫疾患	がん	約4,200万人	1,687億ドル (2021)	172億ドル (2021/Keytruda)	A2a 拮抗薬、EP4 拮抗薬、抗CXCR4 抗体
	炎症性腸疾患	約1,000万人	220億ドル (2021)	83億ドル (2021/Humira)	CCR6 拮抗薬、GPR35 作動薬、EP4 作動薬
	アトピー性皮膚炎	約1,330万人	60億ドル ³ (2021)	50億ドル (2021/Dupixent)	H4 拮抗薬、抗PAR2 抗体
その他	2型糖尿病/肥満	約4.2億人	555億ドル (2021)	66億ドル (2014/Lantus)	GLP1作動薬
	拒食症	約1000万人	-	-	MC4 拮抗薬
合計			約2,820億ドル/年	約490億ドル/年	

出典(患者数): World Health Organization、Evaluate Pharma、The European Federation of Crohn's & Ulcerative Colitis Associations (EFCCA)、Narcolepsy Network, Inc.、GBD 2015 Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators (October 2016). "Global, regional, and national incidence, prevalence, and years lived with disability for 310 diseases and injuries, 1990-2015: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2015". Lancet. 388 (10053): 1545-1602 ¹薬物依存症の患者数として記載

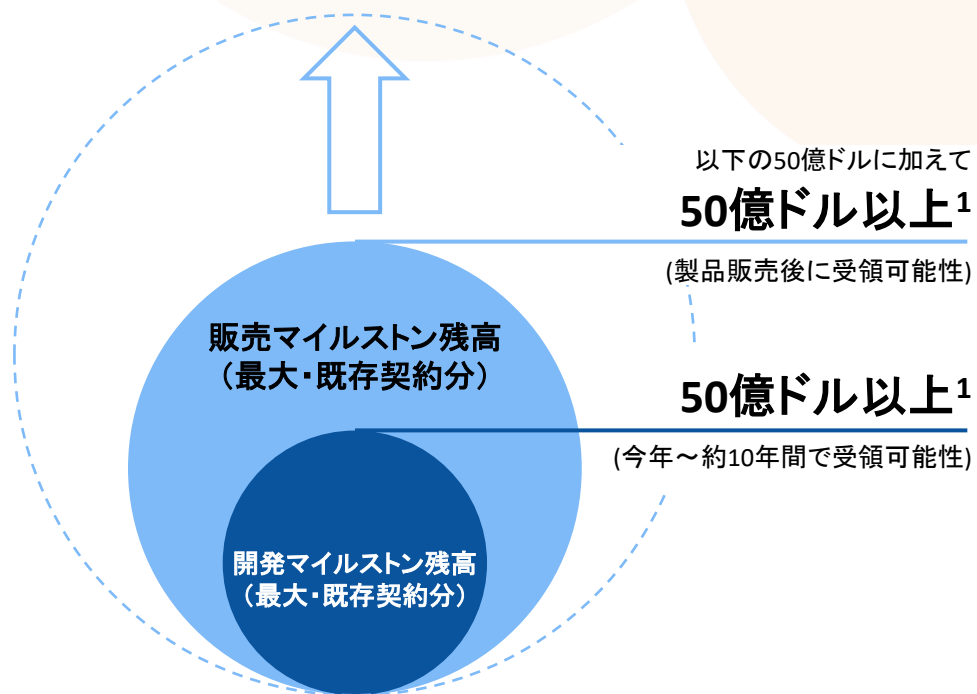
出典(ピーク売上高): EvaluatePharmaの疾患別売上高と個別製品のうち当該疾患分の売上高を記載(2022/6/30時点) ²当社グループは特定疾患の市場の中の一つのセグメントを対象とする可能性

³該当する疾患区分が無い「Eczema」の市場規模を記載。各種データからは、アトピー性皮膚炎の市場全体の規模は現在記載している市場よりも大きい可能性

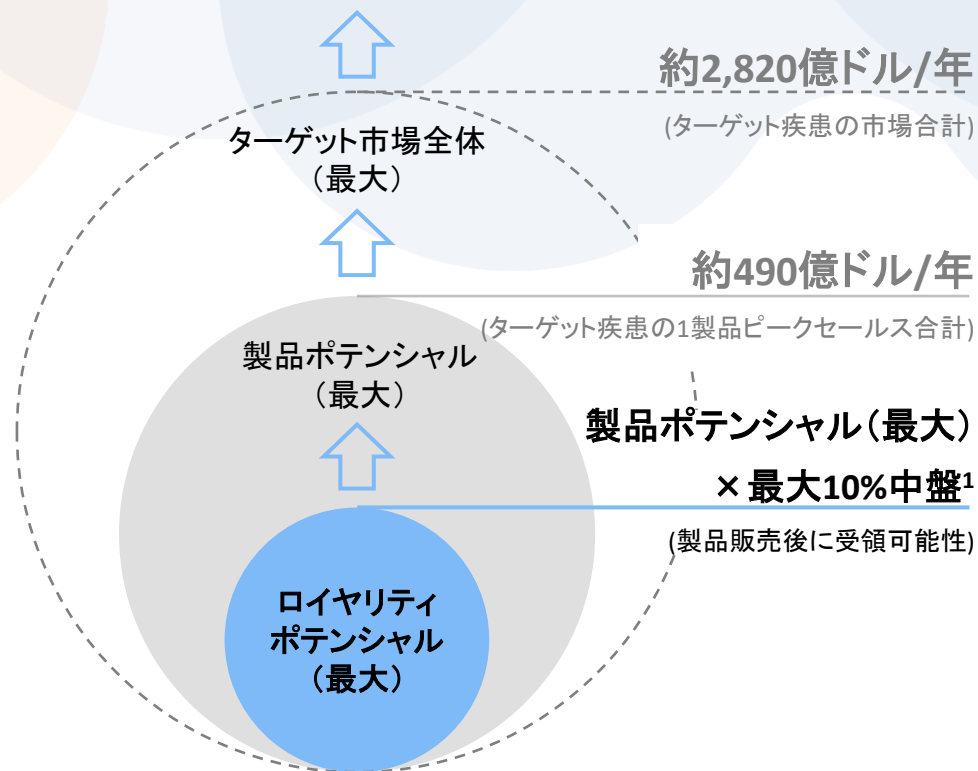
既存ライセンス契約のポテンシャル

既存契約から、短期～中長期で安定的な収入源を確保

既存契約のマイルストーン残高



既存契約のロイヤリティのポテンシャル



● 短期～中期的収入(今年～約10年間で受領可能性) ● 中期～長期的収入(製品販売後に受領可能性) ↑ 今後の新規契約による拡大

¹いずれも既存のプログラムが全て成功した場合の最大値。創業の成功確率は相対的に高くなく、現実的にみて全てのプログラムが成功するわけではない点に十分留意
出典: 市場規模と製品ポテンシャルは前項を参照

2021年の振り返り

内部成長と戦略的成長の両輪で、今後の成長を推進


2021年期初目標

結果



内部成長

- 1 平均年2~3件の価値の高い提携の実行
- 2 GPCRの専門性を強化
- 3 平均年2つの新規前臨床候補品を創出
- 4 パイプラインの進展を実現

- ✓ 1件達成 
- ✓ 達成: 創薬プラットフォームを継続的にアップデート
- ✓ 達成: M1作動薬バックアップ、M1/M4作動薬等
- ✓ 達成: MC4拮抗薬、CGRP拮抗薬等がPhase1試験段階に進捗



戦略的成長

- 1 企業買収など収益創出につながるチャンスを模索
- 2 新規テクノロジーへの投資と技術提携
- 3 GPCR以外への創薬ターゲット拡大
- 4 後期臨床開発段階のアセットを日本市場向けに導入

- ✓ 追加資金調達を7月に完了。適切な買収先検討を継続
- ✓ 達成   
- ✓ 達成 
- ✗ 未達成 実現に向け検討中

2022年度の目標

高い研究開発力に基づき、内部成長と戦略的成長の両輪で今後の成長を推進

2022年期初目標

途中経過



内部成長

1 1つ以上の価値の高い提携の実行

2 1つ以上の前臨床候補品の創出

3 研究開発の生産性をより強化



abbvie

80百万ドルの契約一時金と初期マイルストーン
最大12億ドルの開発マイルストーンとロイヤリティ



Weatherden
CANCER RESEARCH UK



戦略的成長

1 新たな収益源となる企業買収機会の継続的な探索

2 シナジーのある新規テクノロジーとの協業や投資

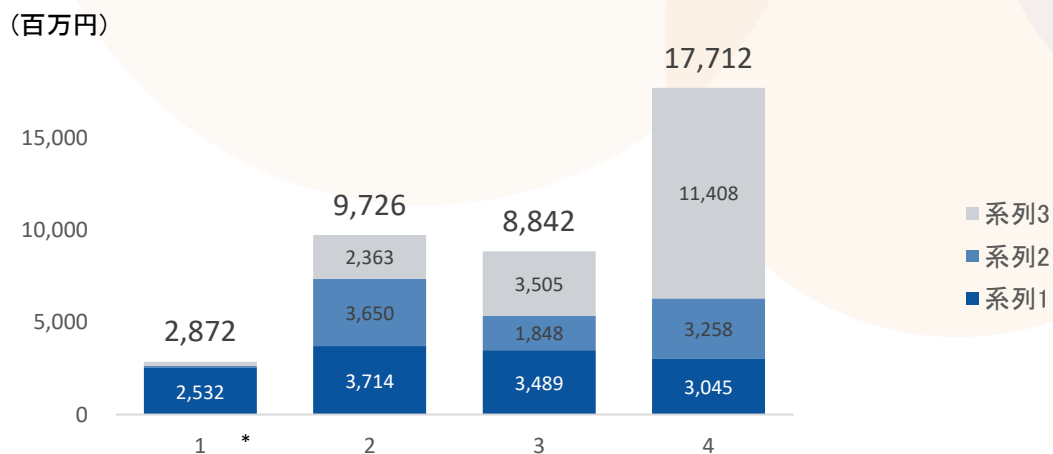
3 後期臨床開発品の日本市場への導入



verily KALLYOPE

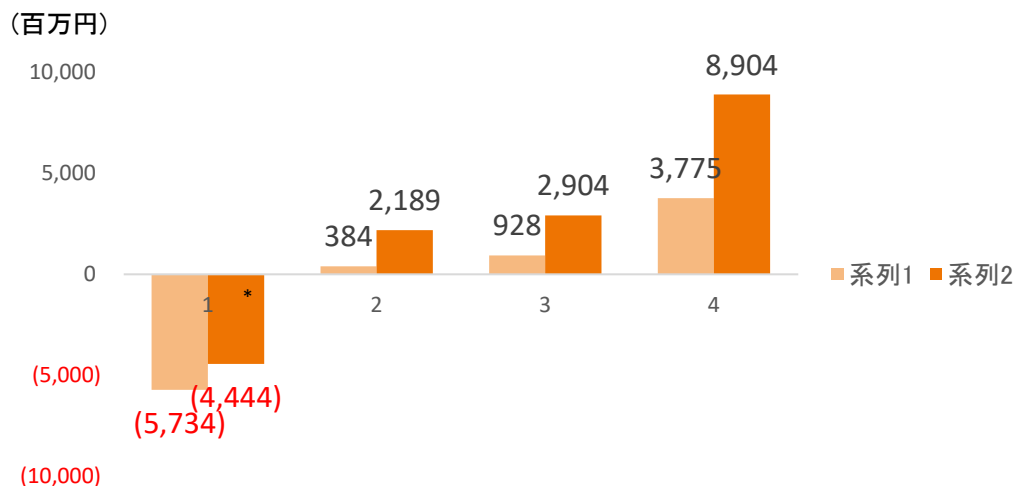
主要決算数値

売上収益の増加に伴い営業利益が大幅に増加。一時的な支出により一部相殺



売上高

- ニューロクライン社とのライセンス契約締結により売上収益は前期比100%の大幅増。既存のライセンス先からの主なマイルストーンは以下の通り:
 - ・ GSK社 (GPR35)
 - ・ ファイザー社 (MC4第 I 相試験開始)
 - ・ ジェネンテック社 (StaR®タンパク質を提供)
 - ・ アツヴィ社、ジェネンテック社とのライセンスに関する前受収益から売上収益への振替額の増加
- ノバルティス社からのロイヤリティはやや減少



営業利益

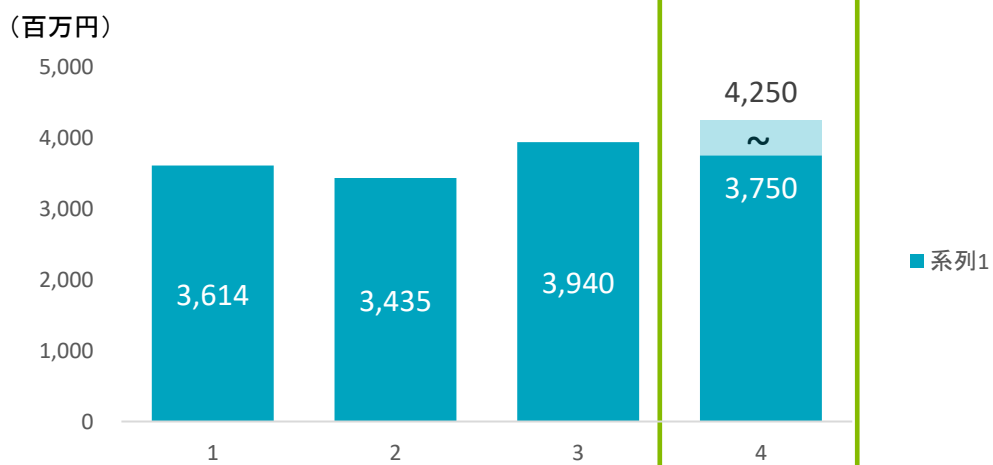
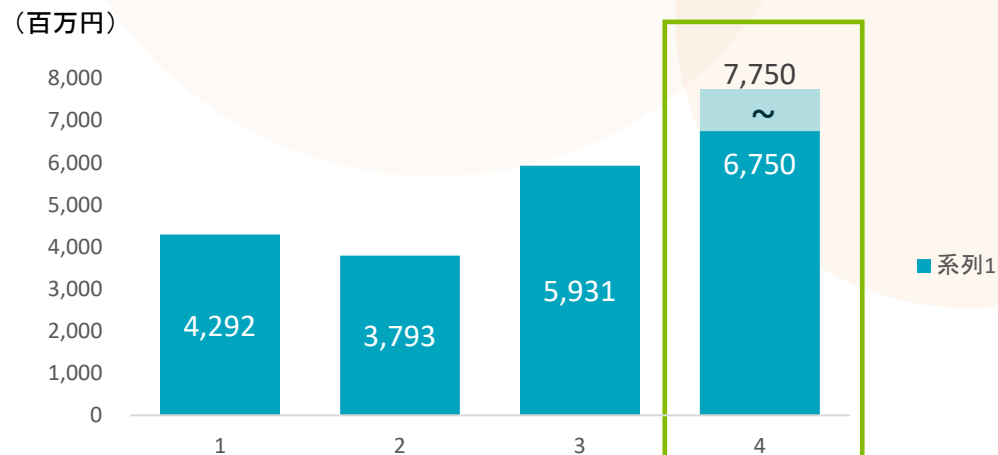
- 当社独自の開発プログラムの活動水準を高めたこと、新規共同研究への支出、ポンド高により研究開発費は増加
- M1作動薬についてライセンス先が従来の候補品の臨床試験を行わず、より新しい科学的性質およびより長い特許期間を持つ次世代の候補品の開発に注力すると決定したことに伴う非現金の減損損失3,064百万円を含む
- リストリクテッド・ストック・ユニット (RSU) 発行に伴う株式報酬費用の増加 - 株価変動のメリットとリスクを株主様と長期的に共有

*18/12期は決算期変更に伴い2018年4月から2018年12月までの9か月間

2022年12月期の費用見込み(修正あり)

中長期でのリターンを強化するため、引き続き投資を強化

修正後見通し



研究開発費(IFRSベース)

6,750百万円～7,750百万円 (5,750百万円～6,750百万円から増加)

- プラットフォームを拡充し、探索能力の向上を図る
- プログラムの臨床開発に注力し、トランスレーショナル・メディシン能力向上に投資
- より高価値なライセンスに向け、優先プログラムをフェーズ1b試験に進める
- 研究開発費の見込みは増加:
 - i. 円安の影響(ポンドが対円で年初来6%上昇)
 - ii. インフレに伴うコスト上昇(英国で約9%)
 - iii. 株式報酬費用の一部を、一般管理費から研究開発費に表記変更

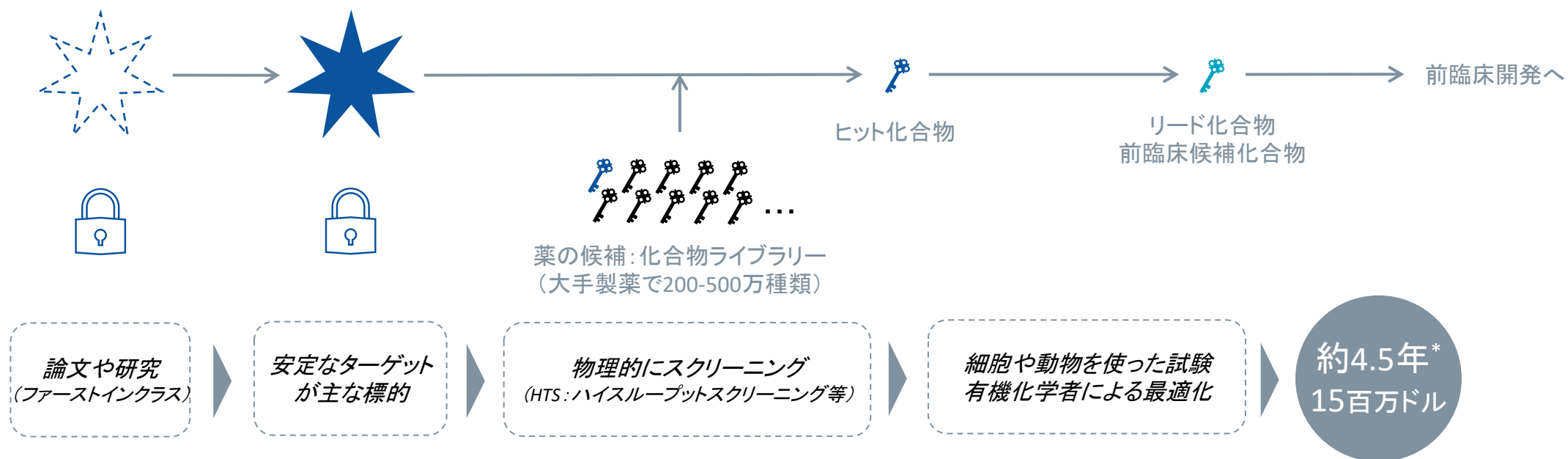
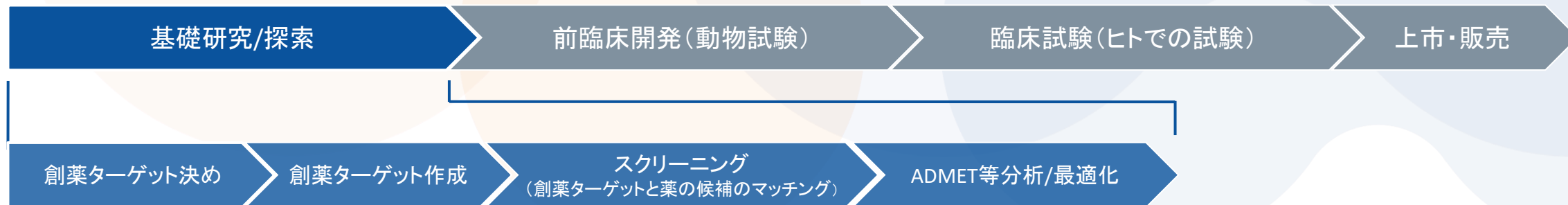
一般管理費(IFRSベース)

3,750百万円～4,250百万円 (据え置き)

- 先端科学強化のためのサポート機能の強化
- コーポレート・ガバナンスの強化
- 東証プライム市場上場に向けた取り組み
- 一般管理費の見込みは据え置き:
 - i. 円安の影響とインフレに伴うコスト上昇
 - ii. 上記のコスト上昇は、株式報酬の再表記により相殺

そもそも薬はどうやって見つけるのか？

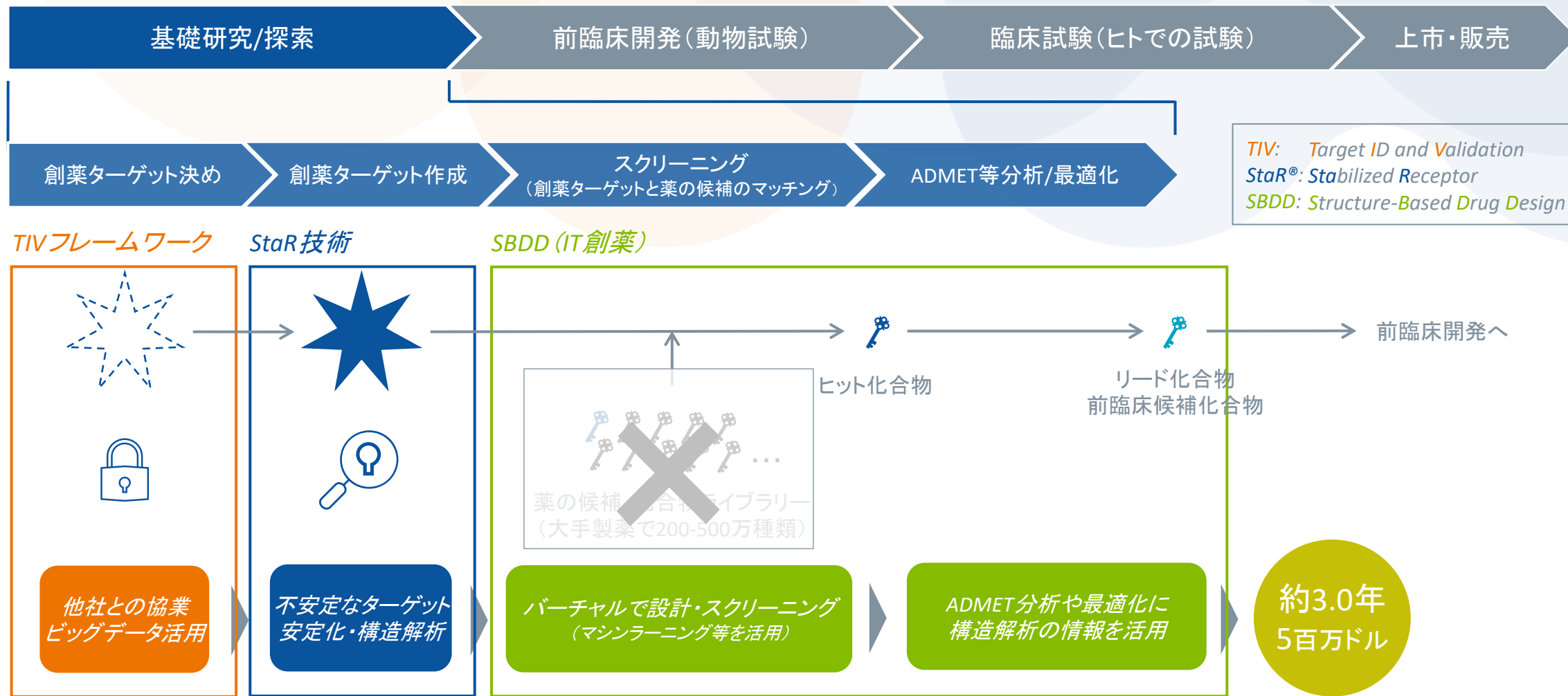
低分子を例にした伝統的な創薬には、4年間に亘り15億円程度が必要



*NATURE REVIEWS Drug Discovery (MARCH 2010)
出所: 当社作成

当社はどうやって薬を見つけているのか？

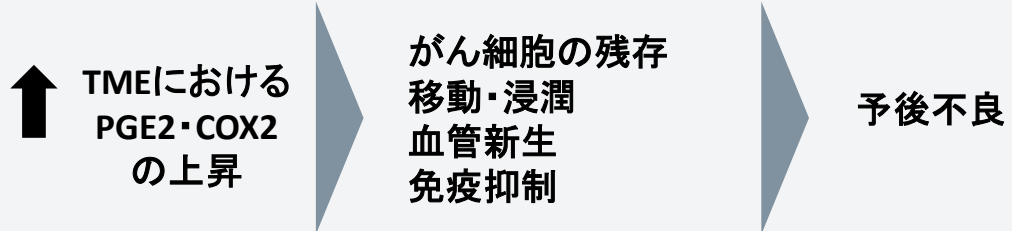
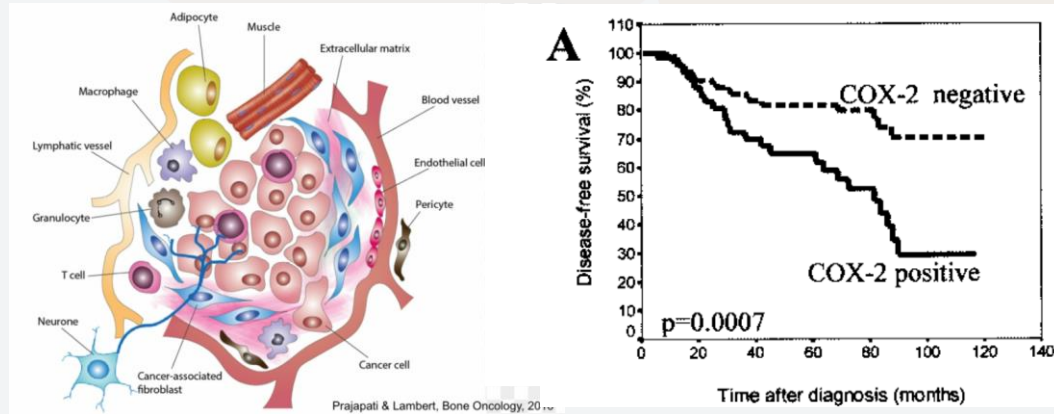
StaR®技術による構造解析をコアに、多くの創薬プロセスをITにより効率化



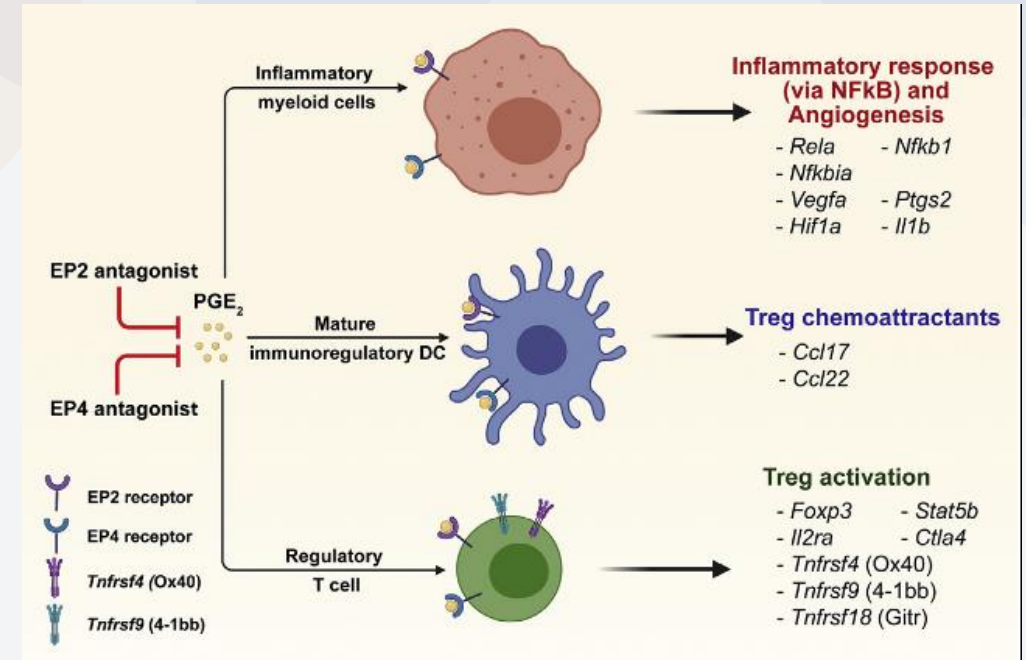
EP4拮抗薬のがんへの作用

PGE2とCOX2は腫瘍微小環境で上昇し予後悪化の要因になる

腫瘍微小環境 (TME)



EP4拮抗薬はどのように治療効果を発揮するか？



PGE2-EP4シグナルをブロックすると:

- 免疫抑制の低減 TME の抑制
- 抗原提示の向上
- T細胞/NK細胞の活性化
- 腫瘍の増殖/転移の抑制

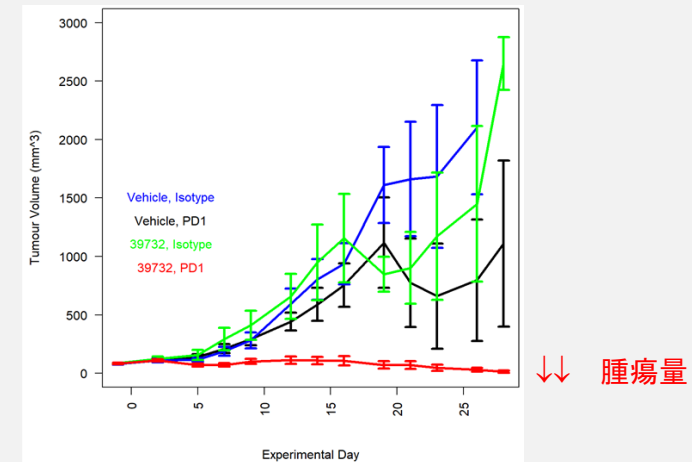
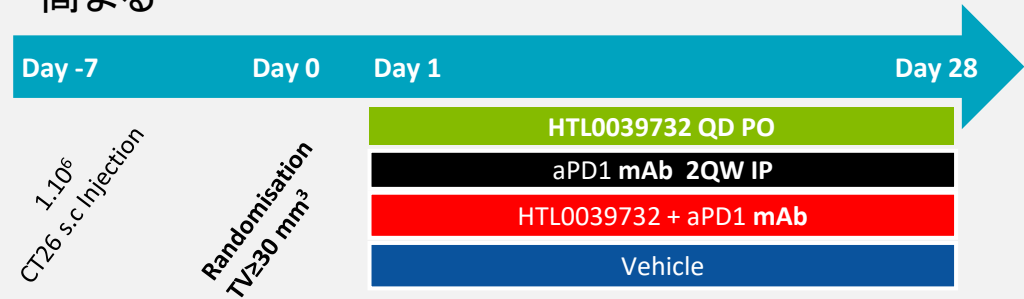
当社のEP4拮抗薬HTL0039732の分子プロフィール

EP4拮抗薬HTL39732の分子プロフィール

- ✓ 高い有効性
- ✓ EP2作用に対して高い選択性
- ✓ 優れたin vitro安全性プロフィール
- ✓ 優れたin vitro ADME特性
- ✓ 優れたPKプロフィール (Cl: low、T1/2:long)
- ✓ 低用量で高い受容体占有率

αPD1抗体との相乗効果を示す

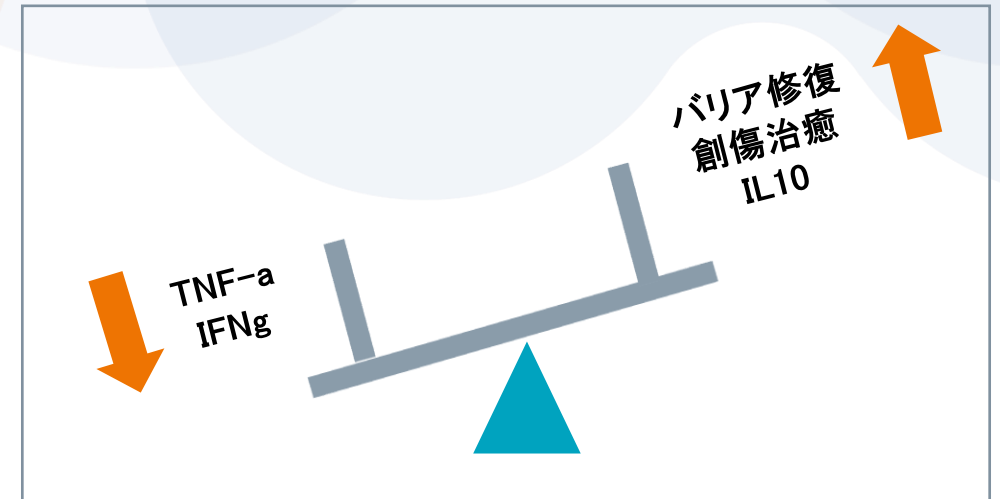
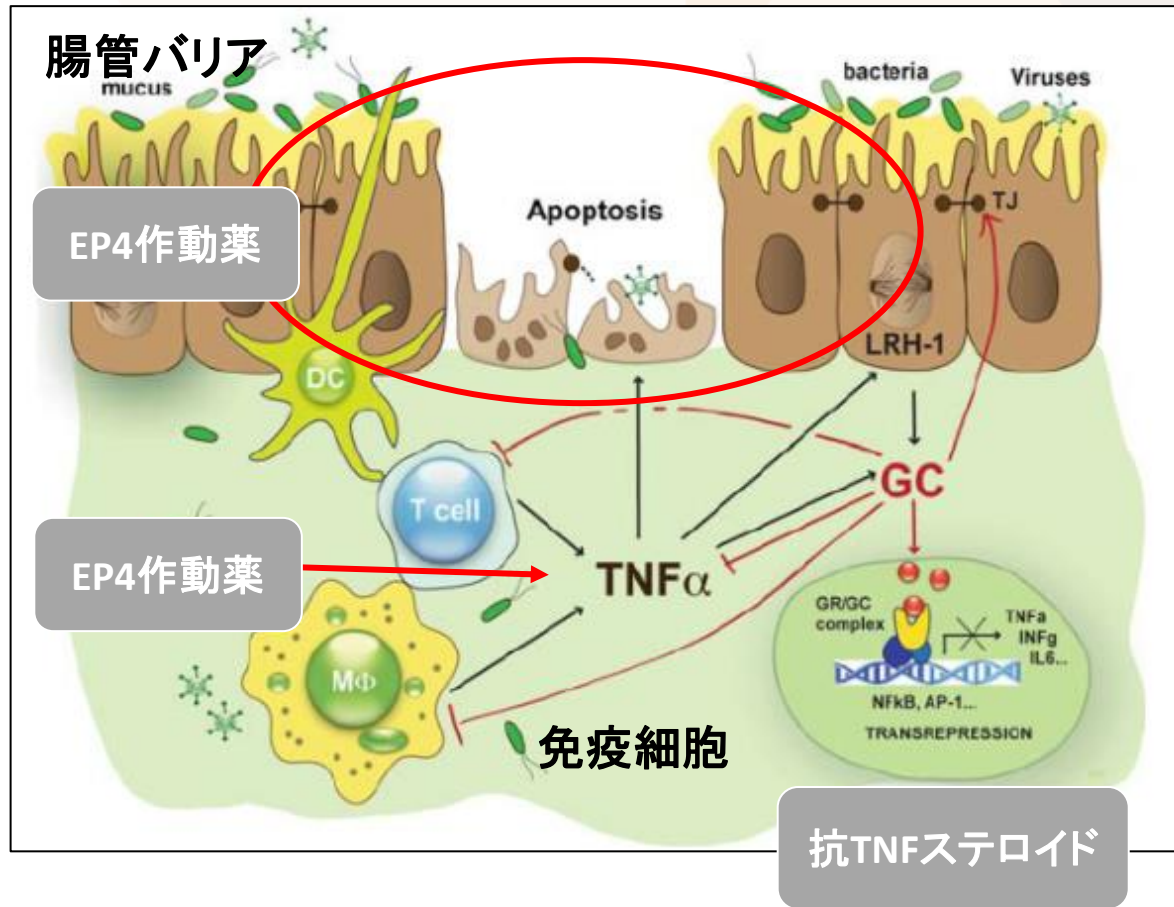
PGE2過剰発現の腫瘍においてEP4を阻害することにより、免疫監視機能が回復し、チェックポイント阻害剤の効果が高まる



IBDにおけるEP4作動薬の有用性

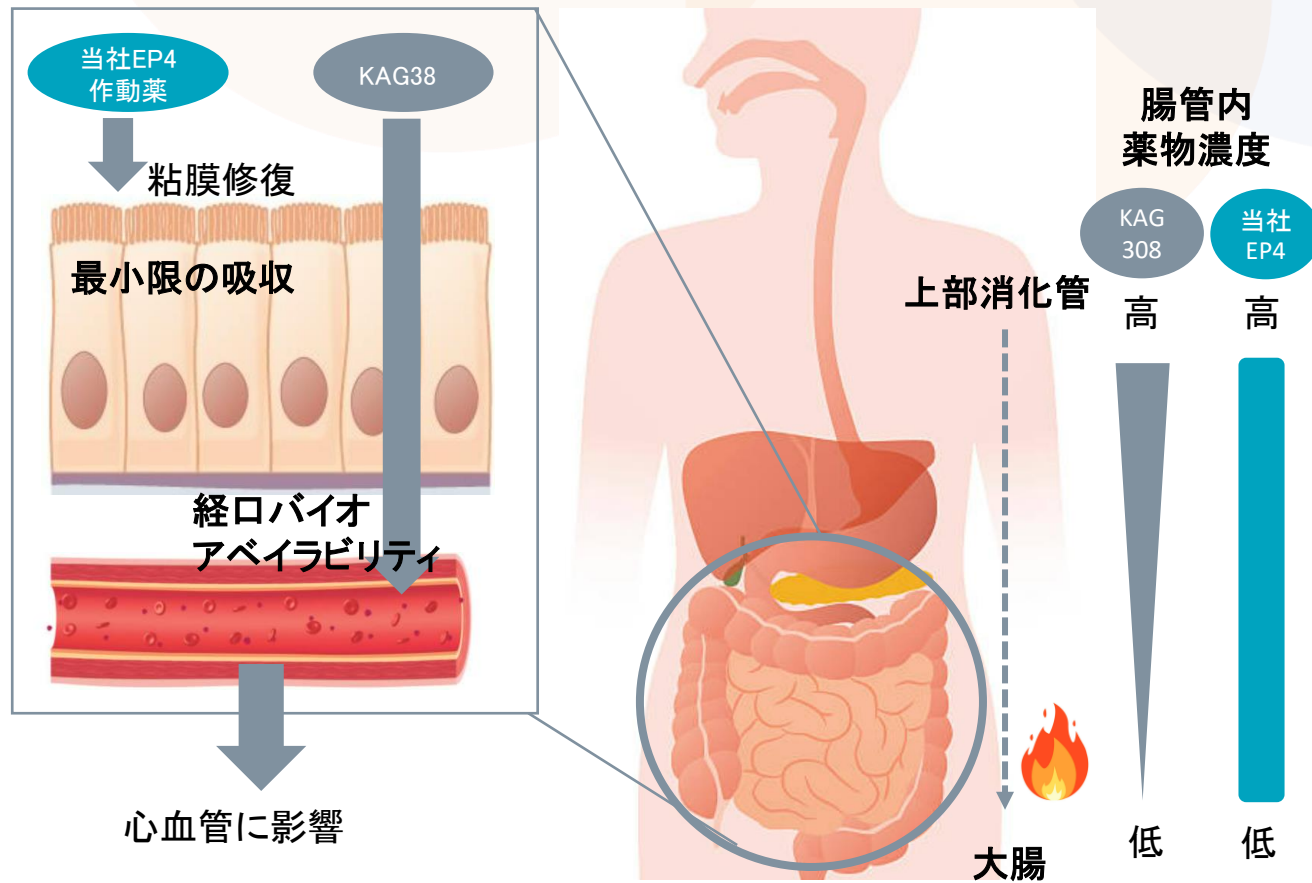
腸管バリアの修復と再生が促進するという、作用メカニズムの仮説

EP4作動薬は強力な抗炎症活性を示し、
腸管バリアの修復と再生を促進する



- EP4作動薬は、現在の標準治療とは異なる、新規の作用機序
- 抗TNF製剤などの併用療法により、IBDの治療効果を高める可能性がある

腸から吸収されにくいことで、IBD治療の新しいアプローチとなりえる



	ONO4819	KAG308	当社EP4作動薬
投与経路	静脈注射	経口	経口
透過性		透過する	低
全身への暴露	有	有	最小限の吸収
効力	+	+++	+++
EP選択性		+	+++
大腸組織内濃度	+	+	+++



腸管粘膜透過制限型の新規EP4作動薬の創生に成功
 高親和性、強力な完全作動薬、優れたEP受容体選択性
 透過性が低く、経口吸収が少ない
 良好なin vivo有効性
 良好なin vitro安全性プロファイル



SOSEI HEPTARES

〒102-0083

東京都千代田区麹町2-1

PMO半蔵門11F

The Steinmetz Building

Granta Park, Cambridge

CB21 6DG

United Kingdom

North West House

119 Marylebone Road

London NW1 5PU

United Kingdom