

GPCR創薬および初期開発

第38回J.P.モルガン・ヘルスケア・カンファレンス 2020年1月15日

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る。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。

アジェンダ

1

当社グループ概要

2

GPCR創薬および初期開発

3

2019年度実績・財務情報および2020年度の業績見通し

1

当社グループ概要

30周年を迎える当社グループ沿革

CEO田村により設立



英国のバイオ医薬品企業
アラキス社を買収し、COPD
治療薬をパイプラインに追加



コーポレートブランド
Sosei Heptaresの使用開始



1990

2004

2005

2015

2018

現在



東京証券取引所マザーズに上場
(証券コード:4565)



GPCR創薬にフォーカスした
英国のバイオ医薬品企業
ヘプタレス社を買収



GPCR¹創薬および初期開発の世界的リーダー

サイエンスおよび技術に立脚

当社グループはサイエンスの最先端に挑む企業として世界的に認知

25種類以上のGPCRから

260以上の分子構造を解明

30%超のGPCRターゲットの構造を解明

THE NOBEL PRIZE

ヘプタレス社共同創業者
リチャード・ヘンダーソン
がノーベル化学賞受賞

提携に注力

当社グループのテクノロジーが評価され世界有数の製薬・バイオ医薬品企業との重要な提携を実現



主要学術機関との連携により常にサイエンスの最先端を行く



拡大するパイプライン

4

国内外における上市済み製品数

29

幅広いパイプラインにおける開示済み開発プログラム数

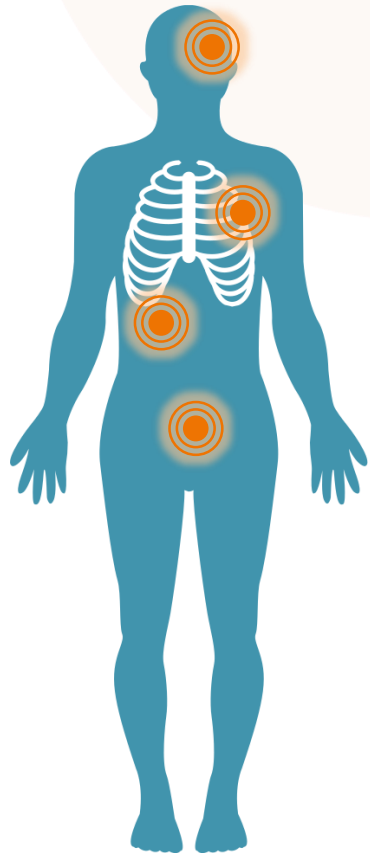
スピンアウトによる二社設立



1: G protein-coupled receptor (Gタンパク質共役受容体)

なぜ、GPCRを標的とするか？

良く知られたターゲットだが、創薬が他社には困難で(“high hanging fruit”)多くが未開拓



約400種類
GPCR
タンパク質

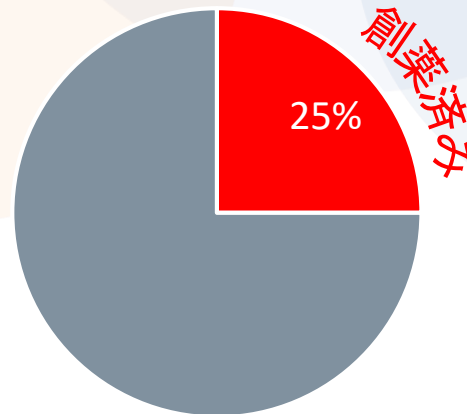
神経系

消化器系

がん免疫

希少/特殊

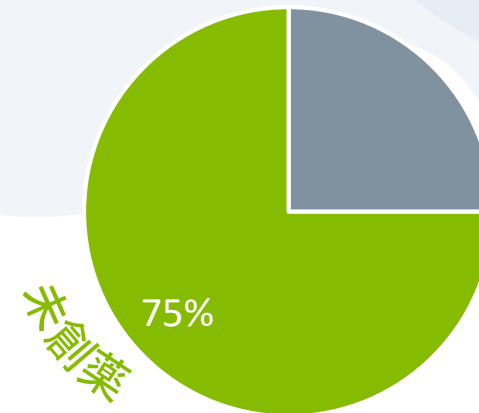
過去50年



GPCRを標的としたブロックバスター



今後50年



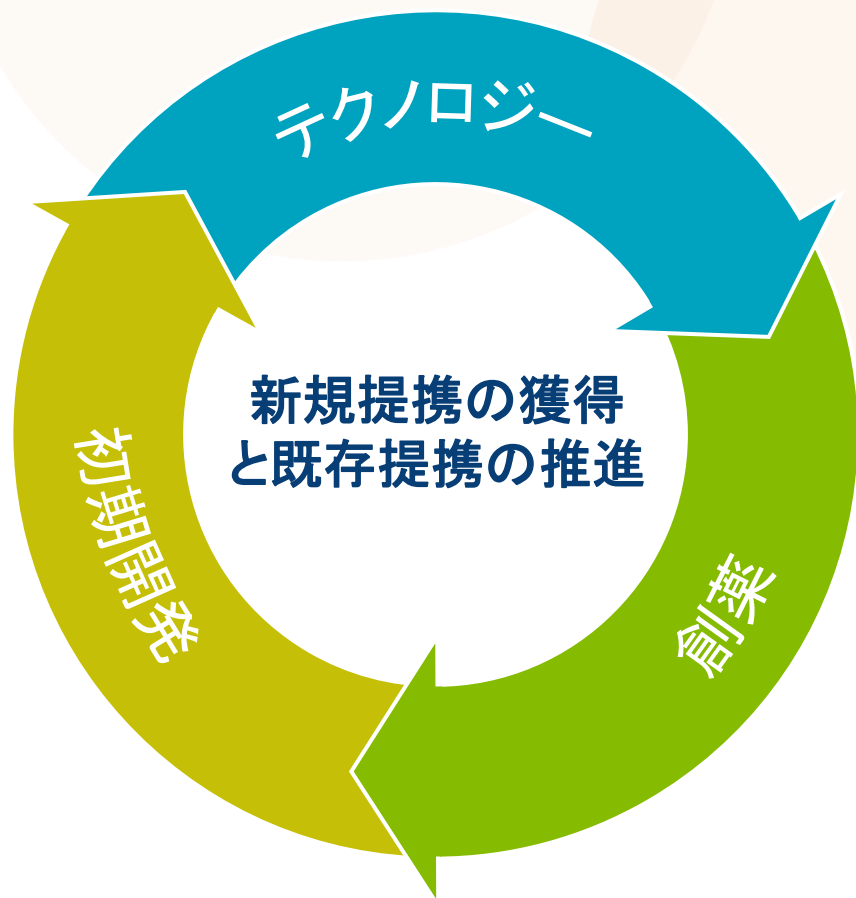
ファースト・イン・クラスのブロックバスターを狙う



患者さまのためにファースト・イン・クラスの新薬創出に注力

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

独自の技術と競合優位性に基づく戦略



創薬基盤技術でのリーダーシップを拡大



高品質の新薬候補化合物を創製

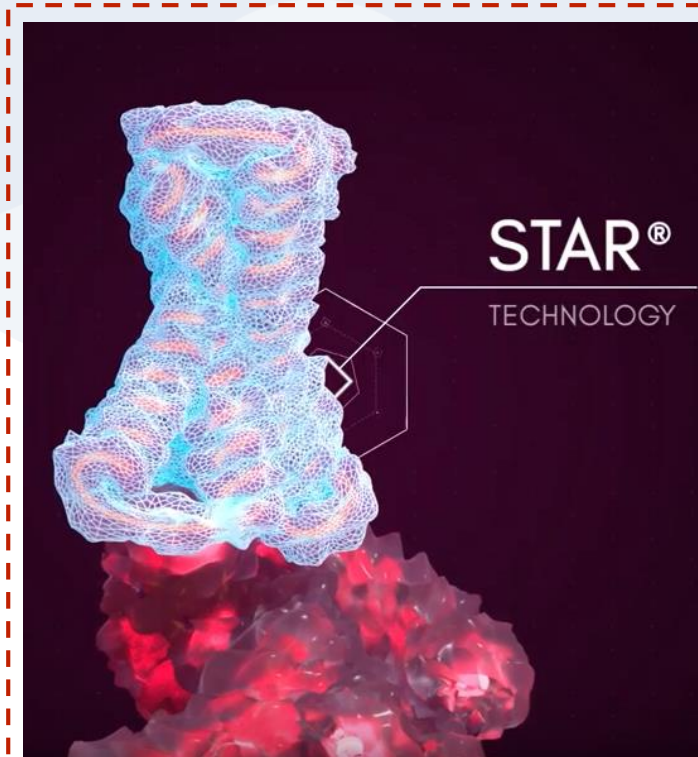
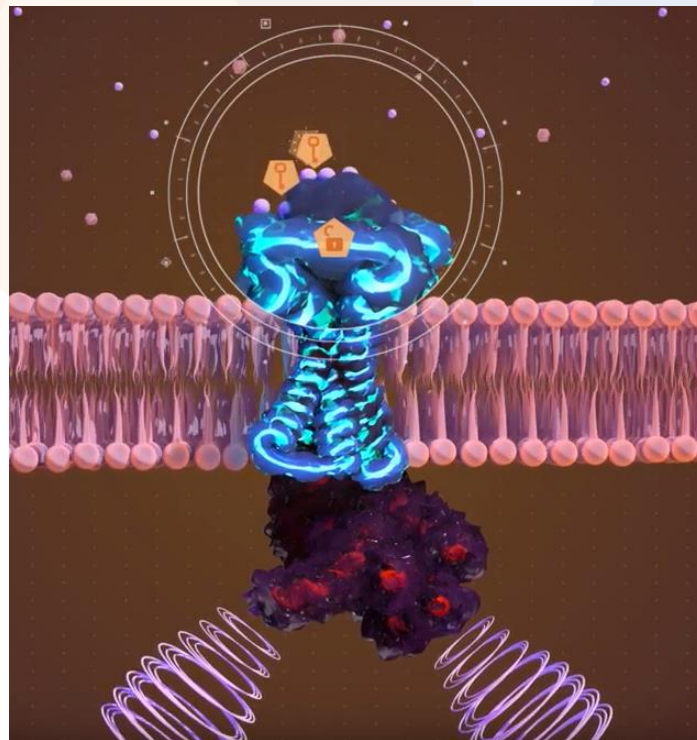
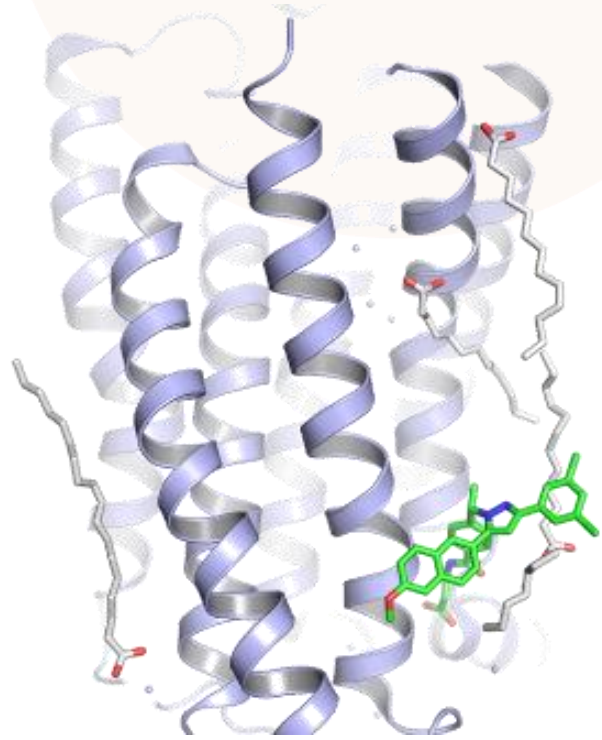


価値の高いプログラムおよび
長期ベンチャーによる投資に注力

新規提携の獲得と既存提携の推進が当社ビジネスの核

StaR[®] 技術¹がより高度な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

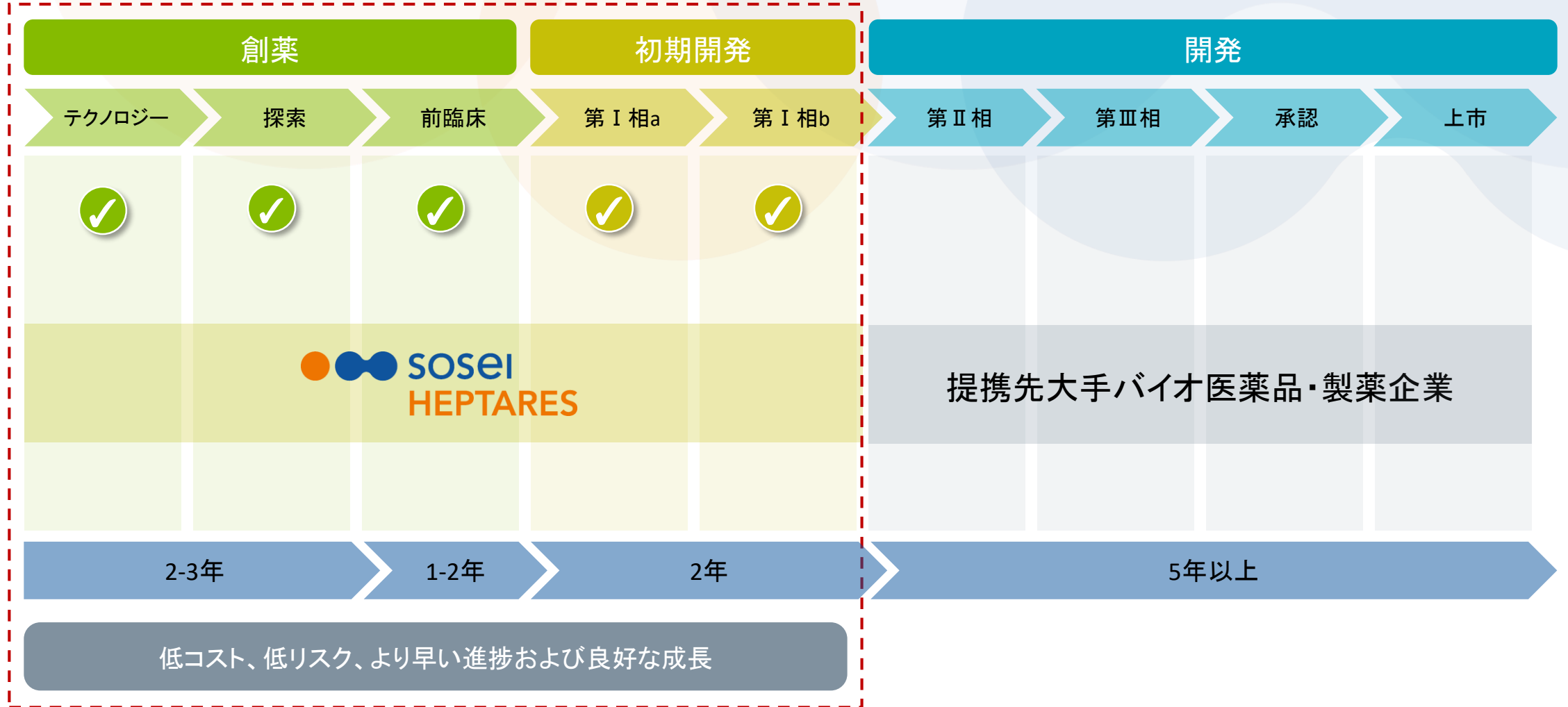
商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

¹Stabilized receptor technology (タンパク質安定化技術)



当社グループの核となる強みは創薬および初期開発

業界動向は創薬および初期開発に追い風



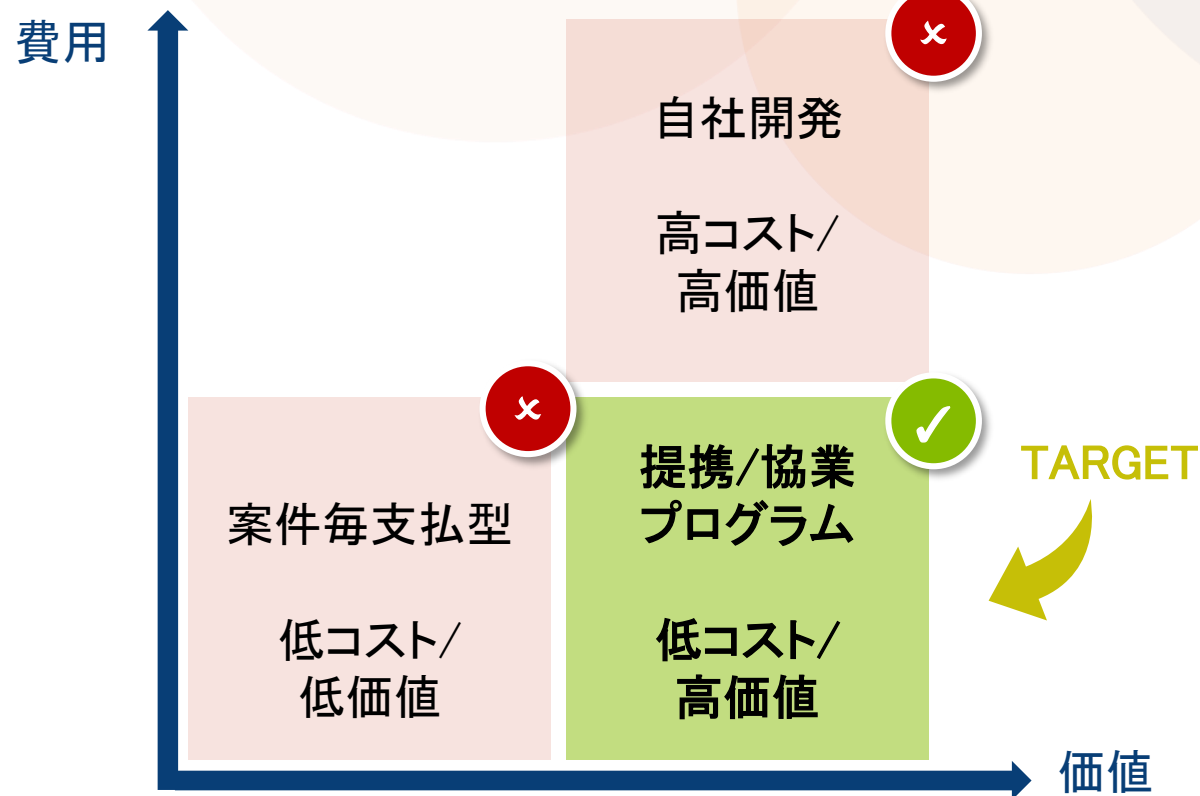
価値の高い提携および長期ベンチャーによるパイプライン構築

低コスト、高付加価値プロジェクトに注力



創薬および開発に対するアプローチ

2019年に実現した新規提携



契約上の最大価値

合併事業の
売却もしくは
IPO実施

10億ドル超

12億ドル超



最大5億ドル超の価値の高い提携あるいは拡大が見込める長期ベンチャーとの協業

バイオテクノロジーにグローバルな革新をもたらす独自のポジション

研究開発拠点：英国ケンブリッジ

従業員数：約150人



独自のStaR®を使用した
GPCR創薬技術



構造ベース創薬 (SBDD)
プラットフォーム



前臨床/トランスレーショナル
及び第 I 相臨床試験の
専門的知識

本社：東京

従業員数：約30人



日本における開発/
承認審査の専門的知識



資本へのアクセス



長期投資/コーポレート・
ベンチャーキャピタル

ケンブリッジの最先端研究施設は、サイエンスと生産性を強化し、新たな提携のチャンスを拡大



2

GPCR創薬および初期開発

世界有数の製薬・バイオ医薬品企業との提携実績



<p>吸入治療用開発品を 375百万米ドルでライセンスアウト (2005年4月)</p>	<p>単一ターゲットを対象にした 200百万米ドルのオプション契約 (2009年10月)</p>	<p>中枢神経系疾患の単一ターゲット を対象にした創薬に関する提携 (2011年4月)</p>	<p>中枢神経障害を対象にしたA2a 拮抗薬に関する独占オプション契約 (2011年5月)</p>	<p>複数ターゲットの研究開発に 関する4年にわたる提携 (2011年5月)</p>
<p>2つのターゲットの 研究開発に関する提携 (2013年1月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にした 抗体薬開発に関する提携 (2013年2月)</p>	<p>ノルレボ錠の 製造販売承認を承継 (2014年1月)</p>	<p>口腔咽頭カンジダ症を適応とする SO-1105の独占販売契約締結 (2014年2月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にした 抗体の開発に関する提携 (2015年7月)</p>
<p>がん免疫療法A2a拮抗薬開発に 関する510百万米ドルの提携 (2015年8月)</p>	<p>偏頭痛を対象にしたCRGP拮抗薬 開発に関する410百万米ドルの提携 (2015年11月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にした 200百万米ドルの研究開発提携 (2015年11月)</p>	<p>中枢神経系疾患に対する新規治療薬 開発に関する32億米ドル超の提携 (2016年4月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にしたがん免疫 療法抗体薬の共同研究に関する提携 (2016年4月)</p>
<p>単一ターゲットを対象にした疼痛 治療薬の研究開発に関する提携 (2017年3月)</p>	<p>単一ターゲットを対象にした炎症性 疾患治療薬の研究開発に関する提携 (2017年6月)</p>	<p>投資額400万ユーロの提携により Orexia社及びInexia社を設立 (2019年2月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にした 10億米ドル超の研究開発に関する提携 (2019年7月)</p>	<p>複数ターゲットを対象にした 12億米ドル超の研究開発に関する提携 (2019年8月)</p>



既存の提携



終了または活動していない提携

技術に基づく創薬エンジンにパートナーの関心が高い

GPCR創薬に革命を起こすアプローチ

生体分子画像化のための
新規手法

クライオ
電子顕微鏡

創薬開発の加速と
質の向上

更なるGPCR
探索のための
能力増強

CHESS技術

AI/
マシンランニング

STAR®技術

SaBRE技術

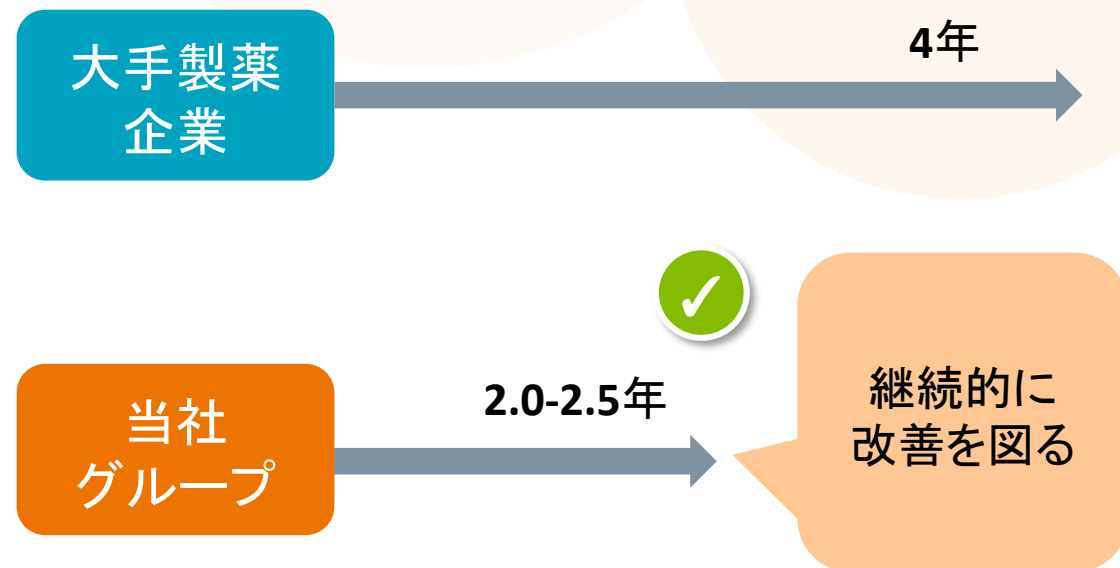
DNA
コード化合物
ライブラリー技術

新しい
創薬アプローチ

より効率的な創薬

業界トップの高い生産性

創薬から前臨床開発候補品特定までの時間



sosei HEPTARES

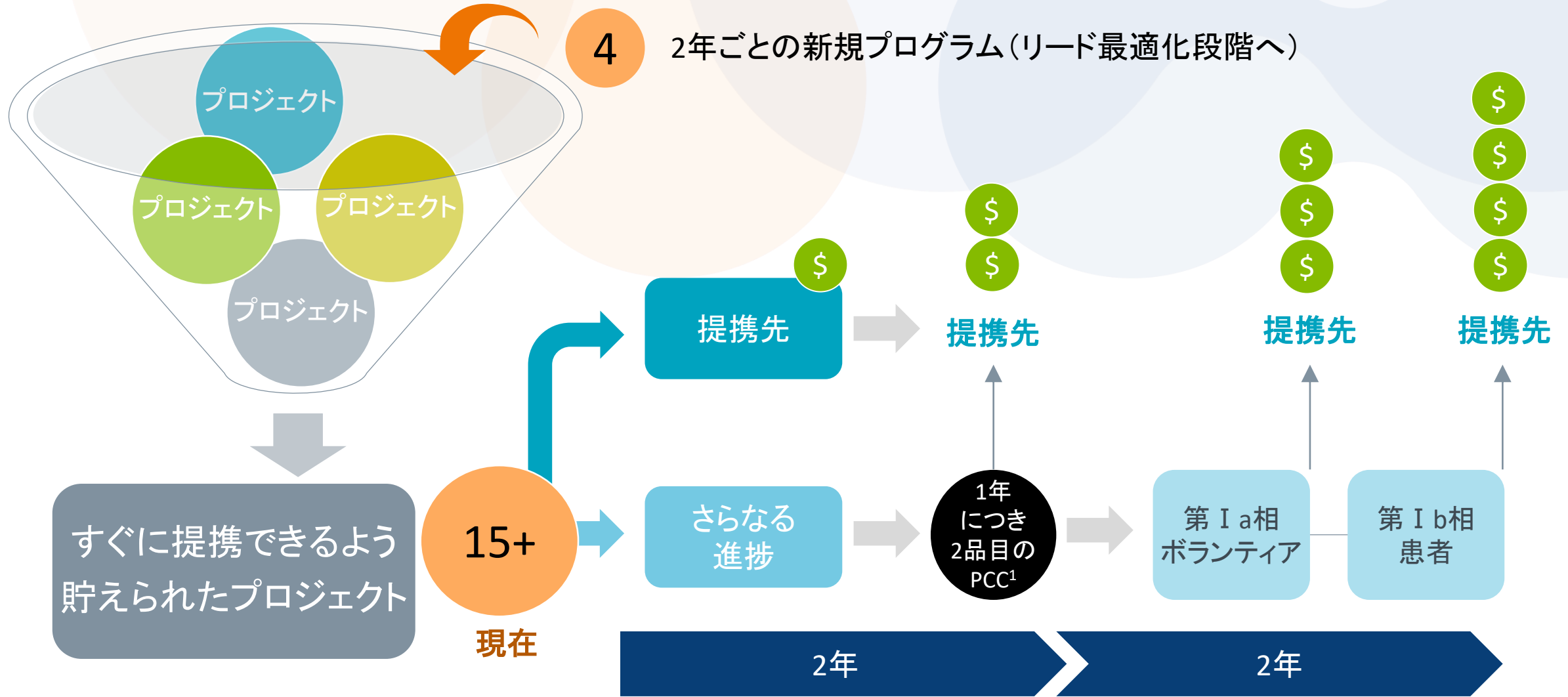
- 25以上の前臨床開発候補品 過去10年間に創出
- 7つの化合物 過去7年間に臨床試験入り

当社グループは年間2~3品目の前臨床開発候補品を創出、同規模企業では1品目が業界標準

安定したビジネスモデルにより多数の価値創造変曲点を生み出す

2020年度は価値の高い新規提携を2~3件および/あるいは新規ベンチャーとの提携実現を目指す

4 2年ごとの新規プログラム(リード最適化段階へ)



PCC = 試験の準備が整った前臨床開発候補品

現在15以上の提携プログラムが進捗中

製品/プログラム	モダリティ1	適応	パートナー	創薬	非臨床	第I相	第II相	第III相	上市
上市製品									
シーブリ®/ウルティプロ®	低分子	COPD	NOVARTIS	●	●	●	●	●	●
QVM149	低分子	喘息	NOVARTIS	●	●	●	●	●	●
ノルレボ®	低分子	緊急避妊	ASKA Pharmaceutical Co., Ltd.	●	●	●	●	●	●
オラビ®	低分子	口腔咽頭カンジダ症	FUJIFILM	●	●	●	●	●	●
提携パイプライン (伝統的導出型/提携プロジェクト)									
A2a 受容体拮抗薬	低分子	複数の固形がん	AstraZeneca	●	●	●	●	●	●
A2a 受容体拮抗薬	低分子	EGFRm 非小細胞肺癌	AstraZeneca	●	●	●	●	●	●
M ₁ 作動薬	低分子	アルツハイマー病	Allergan	●	●	●	●	●	●
M ₄ 作動薬	低分子	アルツハイマー病	Allergan	●	●	●	●	●	●
M ₁ /M ₄ デュアル作動薬	低分子	アルツハイマー病	Allergan	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	低分子	疼痛	Daiichi-Sankyo	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	低分子	非開示	Pfizer	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	低分子	非開示	Pfizer	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	低分子	代謝性疾患やその他の疾患	Pfizer	●	●	●	●	●	●
複数ターゲット	抗体	炎症性疾患	morphosys	●	●	●	●	●	●
複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数	Genentech <small>A Member of the Roche Group</small>	●	●	●	●	●	●
複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数	Takeda	●	●	●	●	●	●
提携パイプライン (共同開発/利益分配)									
CXCR4 抗体	抗体	がん免疫	kymab	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	抗体	がん免疫	kymab	●	●	●	●	●	●
単一ターゲット	ペプチド	炎症性疾患	Regeneron	●	●	●	●	●	●
アセット特化企業									
オレキシン作動薬	低分子	ナルコレプシー	Orexia	●	●	●	●	●	●
オレキシン作動薬	低分子	ナルコレプシー	INEXIA	●	●	●	●	●	●

● : 現段階
 - - - ◆ : 今後12-18カ月の進捗予定

提携を目指す15以上の自社プログラムも同時進捗

製品/プログラム	モダリティ	適応	オリジネーター	創薬	非臨床	第 I 相	第 II 相	第 III 相	上市
自社開発GPCRパイプライン (提携前)									
mGlu ₅ NAM	低分子	神経性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
SSTR 作動薬	ペプチド	内分泌疾患	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
CGRP 受容体拮抗薬	低分子	片頭痛	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●	●	●
GLP-1 受容体拮抗薬	ペプチド	代謝性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
GLP-2 作動薬	ペプチド	腸管不全	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
OX-1 拮抗薬	低分子	コカイン使用障害	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
アペリン作動薬	ペプチド	肺動脈高血圧症	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
GPR35 作動薬	低分子	過敏性腸疾患	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
H4 拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
PAR2抗体	抗体	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
幅広くGPCR対象の 複数プログラム	低分子/ 生物製剤/ 抗体/ ペプチド	神経系、消化器系、炎症、 がん免疫や希少疾病などの 複数適応	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		
M1受容体作動薬 ¹	低分子	DLB (日本)	●●● SOSEI HEPTARES	●	●	●	●		

複数の候補品が新しい提携交渉の対象

● : 現段階
 - - - ● : 今後12-18カ月の進捗予定

¹日本でのDLBを対象としたHTL0018318の第II相臨床試験は中止を決定しました。当社グループは、医薬品医療機器総合機構(PMDA)へHTL0018318(あるいは別の新規M1作動薬候補)の新たな治験届を将来再提出する予定です。



3

2019年度実績・財務情報および 2020年度の業績見通し

2019年度実績



マイルストーン15百万米ドル
固形がんを対象とした
がん免疫プログラムの
第Ⅱ相臨床試験開始

2019年1月



投資額40百万ユーロの提携
Medicxi社との契約により
アセット特化型企业2社を設立

2019年2月



SSTR 5 受容体作動薬
HTL0030310(内分泌障害
治療薬)の第Ⅰ相臨床試験
開始

2019年2月



マイルストーン2.5百万米ドル
配合吸入剤QVM149の
医薬品販売承認を
欧州医薬品庁へ申請

2019年5月



マイルストーン合計6百万米ドル
最初の2つの臨床開発候補
物質を特定

2019年5-6月



契約一時金/初期段階の支払
合計 26 百万米ドル
複数ターゲットの研究開発・
ライセンスに関する提携
総額1,000百万米ドル超の
マイルストンの可能性

2019年7月



契約一時金/初期段階の支払
合計26百万米ドル
複数ターゲットの研究開発に
関する提携
総額1,200百万米ドル超の
マイルストンの可能性

2019年8月



マイルストーン3百万米ドル
新規 GPCR ターゲットの特定

2019年10月



マイルストーン5百万米ドル
最初に特定した新薬開発
候補品の臨床試験開始

2019年12月



マイルストーン3百万米ドル
3番目の臨床開発候補物質を
特定

2019年12月

■ 新規提携

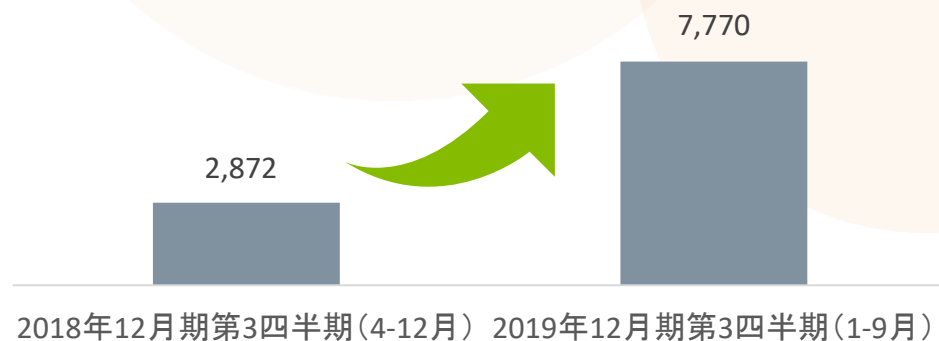
■ 既存提携

■ 未提携の自社開発プログラム



戦略推進により持続可能な財務指標を実現

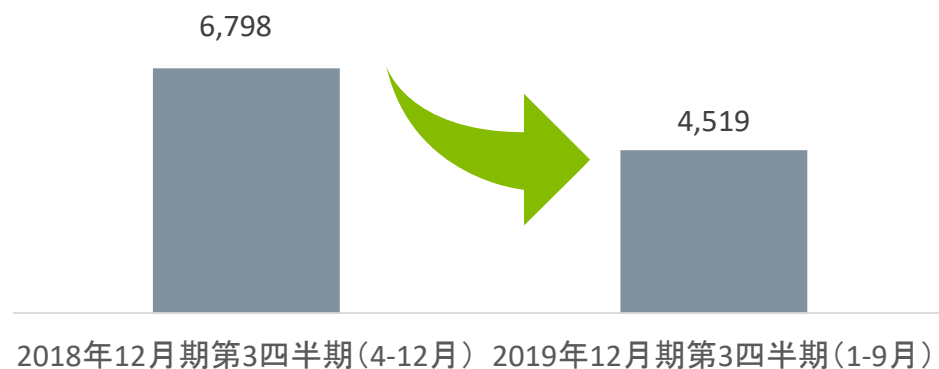
売上収益(百万円)



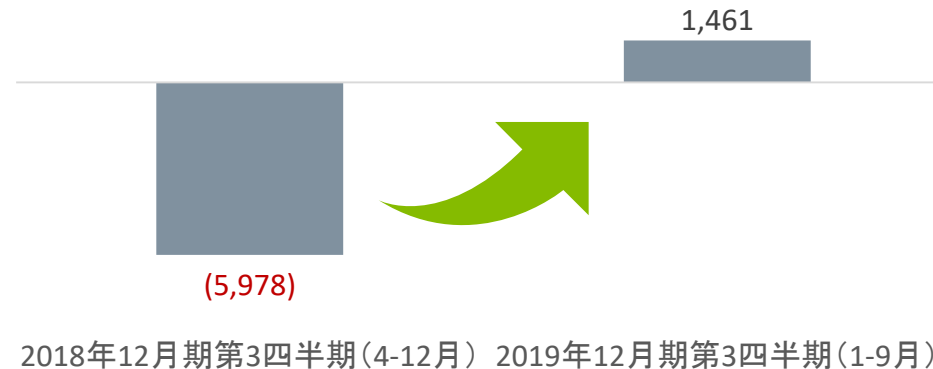
営業利益(百万円)



現金支出費用¹(百万円)



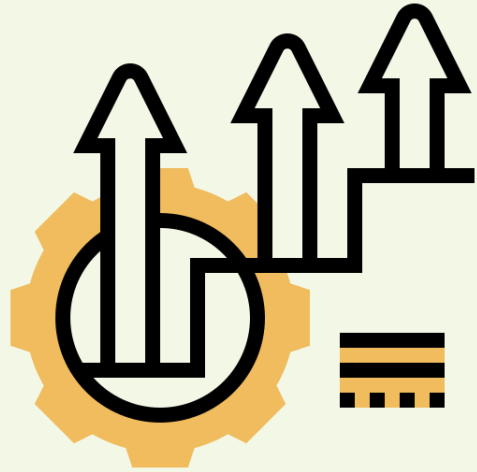
四半期利益(百万円)



¹ Non-IFRS measure

2020年度 堅調な業績見通し

2020年度のビジネス展開



1

次の創薬プロジェクトへの種まき

2

提携または自社開発向けに医薬候補品を継続的に創出

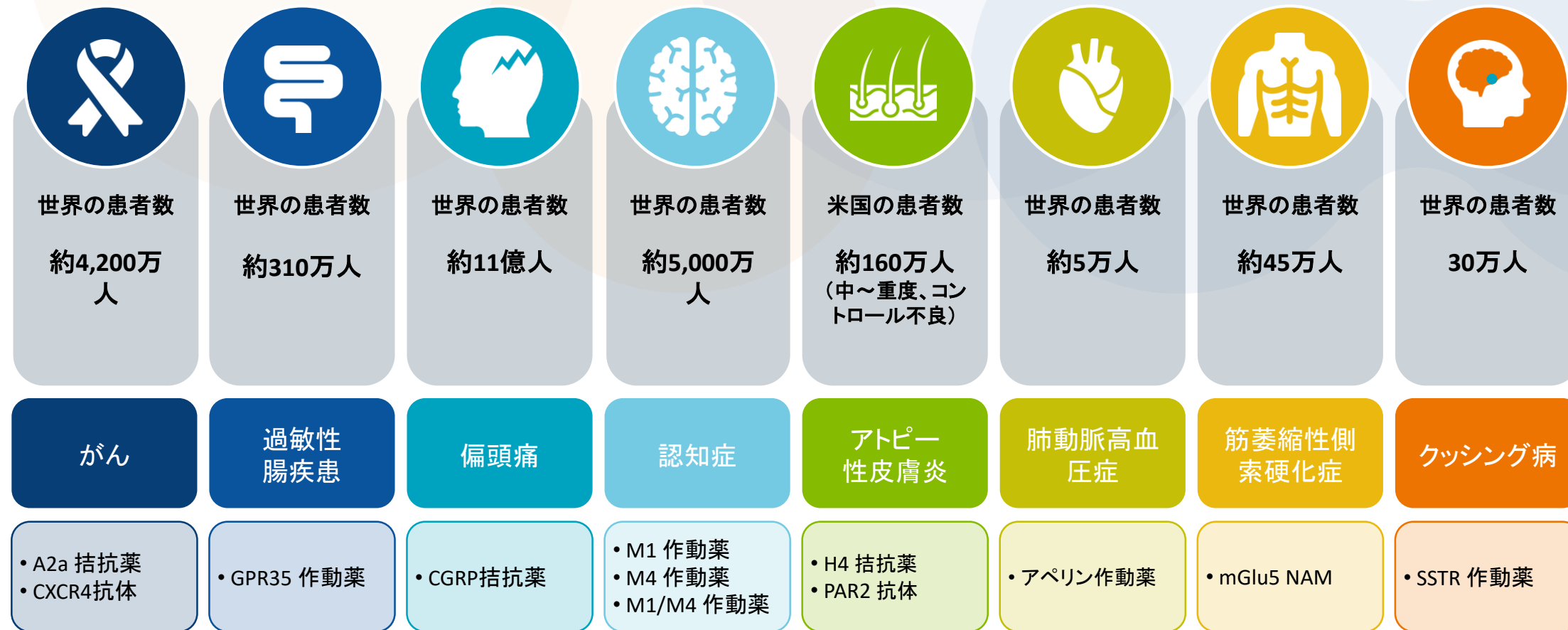
3

既存提携プログラムの進捗

4

世界のリーディングカンパニーと新規提携

ありがとうございました



世界中の人々の生活の質と健康の向上に大きく貢献することが当社のミッションです

出典: World Health Organization, EvaluatePharma, Management Estimates.
注: 当社グループは特定の市場の一つのセグメントを対象とする可能性があります

問い合わせ先:

クリス・カーギル
執行役副社長 最高財務責任者 (CFO)

IR@soseiheptares.com

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