



# 2022年12月期 第2四半期(1月-6月)決算説明資料

# 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。

# 目次

1

連結業績

2

ビジネスハイライト

3

研究開発の進捗

4

2022年度の目標

5

質疑応答

6

補足資料

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。投資を行なうに際しては、投資家ご自身の判断で行なうようお願いいたします。

1

# 連結業績

執行役副社長CFO 野村広之進

# 上期(1月-6月)業績ハイライト

研究開発投資を強化し、成長戦略を着実に実行

1

売上収益は2,457百万円（前年同期:3,123百万円）

前年同期に5件のマイルストーンを達成した一方、2件のマイルストーンを達成

2

営業損失は3,804百万円（前年同期:1,849百万円の損失）

期初の成長戦略の予定に従い、研究開発費が前年同期比1,100百万円増加

3

現金及び現金同等物は536億円

大半を非連続的な成長を達成するための企業買収、およびアセットの導入のために確保

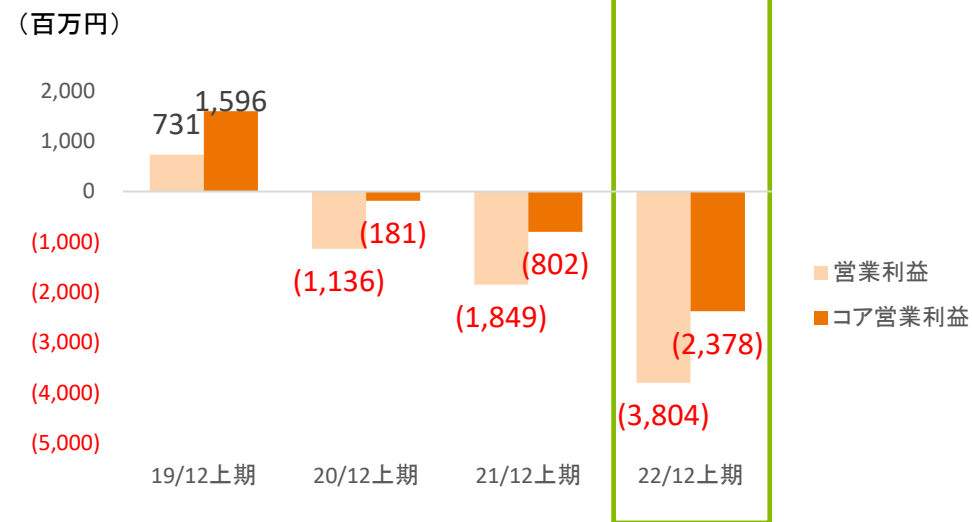
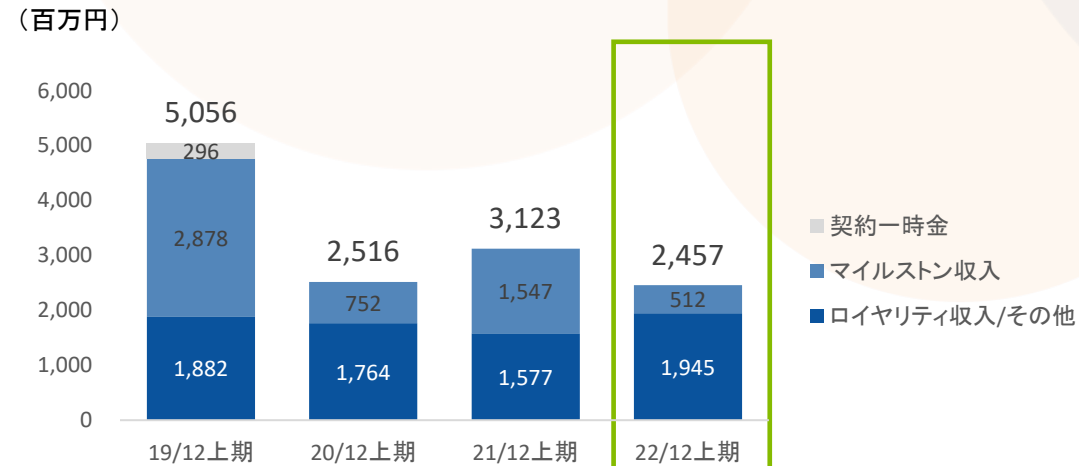
4

7月1日以降に発生した重要な事象（計上は第3四半期およびそれ以降）:

- 8月2日、アツヴィ社との新規提携締結を発表（契約一時金40百万ドル）
- 8月5日、ニューロクライン社との提携によるM4受容体作動薬のフェーズ2試験のIND受理によるマイルストーン達成を発表（マイルストーン30百万ドル）

# 主要決算数値

上期(1-6月)においては、マイルストンの達成件数が前年同期比で減少



## 売上収益

- 売上収益は、あらかじめ定められた成果を達成できるかどうか、あるいは新規提携契約が締結できるかどうかによって、四半期毎に変動する可能性
- 売上収益は主にマイルストーン収入の減少により、前年同期比666百万円減少
- 既存の提携先からのマイルストーン収入：
  - ・ 武田薬品およびジェネンテック社からのマイルストーン
  - ・ アツヴィ社、ジェネンテック社との提携の前受収益から売上収益への振替
- 前年同期は5件のマイルストーンを達成
- ノバルティス社からのロイヤリティ収入は前年同期比ほぼ横ばいも、円安の影響で円ベースでは微増

## 営業損失

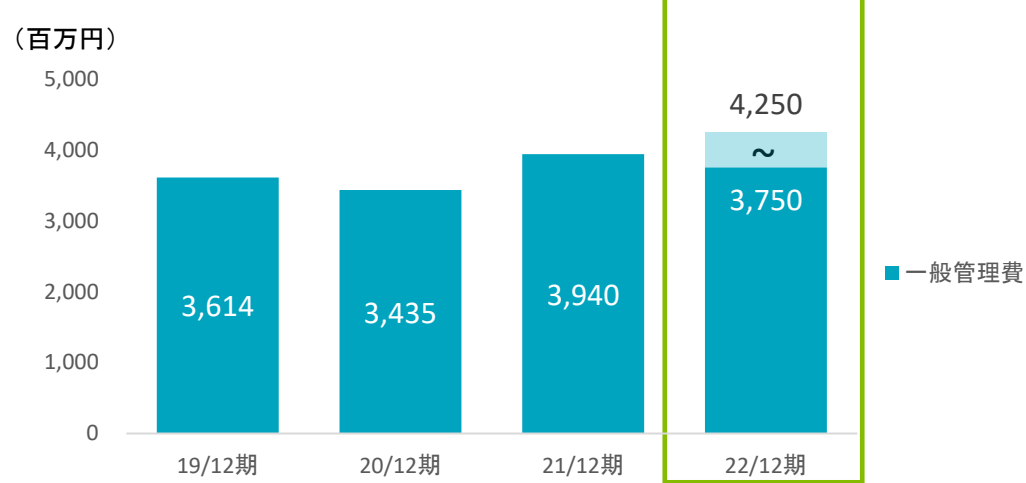
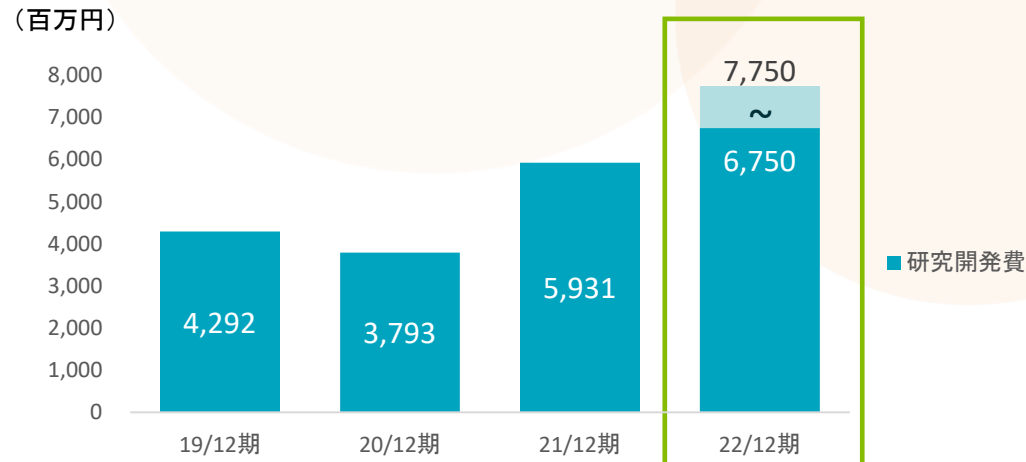
- 当社独自の開発プログラムの活動水準を高めたこと、新規共同研究への支出に加え、円安、インフレの影響により、コア研究開発費は前年同期比1,003百万円増加
- COVIDの制限緩和による事業活動の全般的な増加(出張や研修を含む)に加え、円安、インフレの影響により、コア一般管理費は前年同期比で329百万円増加



# 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・メディシン機能向上に投資
- 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分類変更

### 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主に株式報酬費用の分類変更により相殺

2

## ビジネスハイライト

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル



# 全ての開発段階/提携形式で力強い進展(1)

上期の進捗  
上期後の進捗



■ 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。

# 全ての開発段階/提携形式で力強い進展(2)

## 創薬段階における進展



複数の新規GPCRターゲットを、既にAIデータセットから特定

**KALLYOPE**

新規ターゲット探索のための新規プラットフォームを活用



複数プログラムにおいて、累計5つのマイルストーンを達成



12億ドル以上の、複数ターゲットを対象とした神経疾患における新規提携

## 開発段階における進展



GLP-1作動薬の強力なフェーズ1試験のデータが発表され、2022年下期にフェーズ2試験開始の可能性



M4作動薬の新薬臨床試験開始申請(IND)をFDAが受理、2022年下期にフェーズ2試験開始の可能性



EP4拮抗薬について、がん領域でのパイプライン価値を最大化するため、新規提携

創薬段階のイノベーションを継続的に拡大しつつ、PF-070815732 (GLP-1) と NBI-1117568 (M4) という、2つの大型プログラムが、パートナーと共にフェーズ2試験に進むことが期待される、非常に重要な進展

# アッヴィ社との複数のターゲットを対象にした新規提携

契約一時金と初期開発マイルストーン合計80百万ドルに加え、最大12億ドルの総額マイルストーン

1

契約一時金40百万ドル、初期開発マイルストーン40百万ドル(今後3年間での受領を想定)、さらに最大12億ドルのマイルストーンに加えて、段階的ロイヤリティを受領する権利を有する

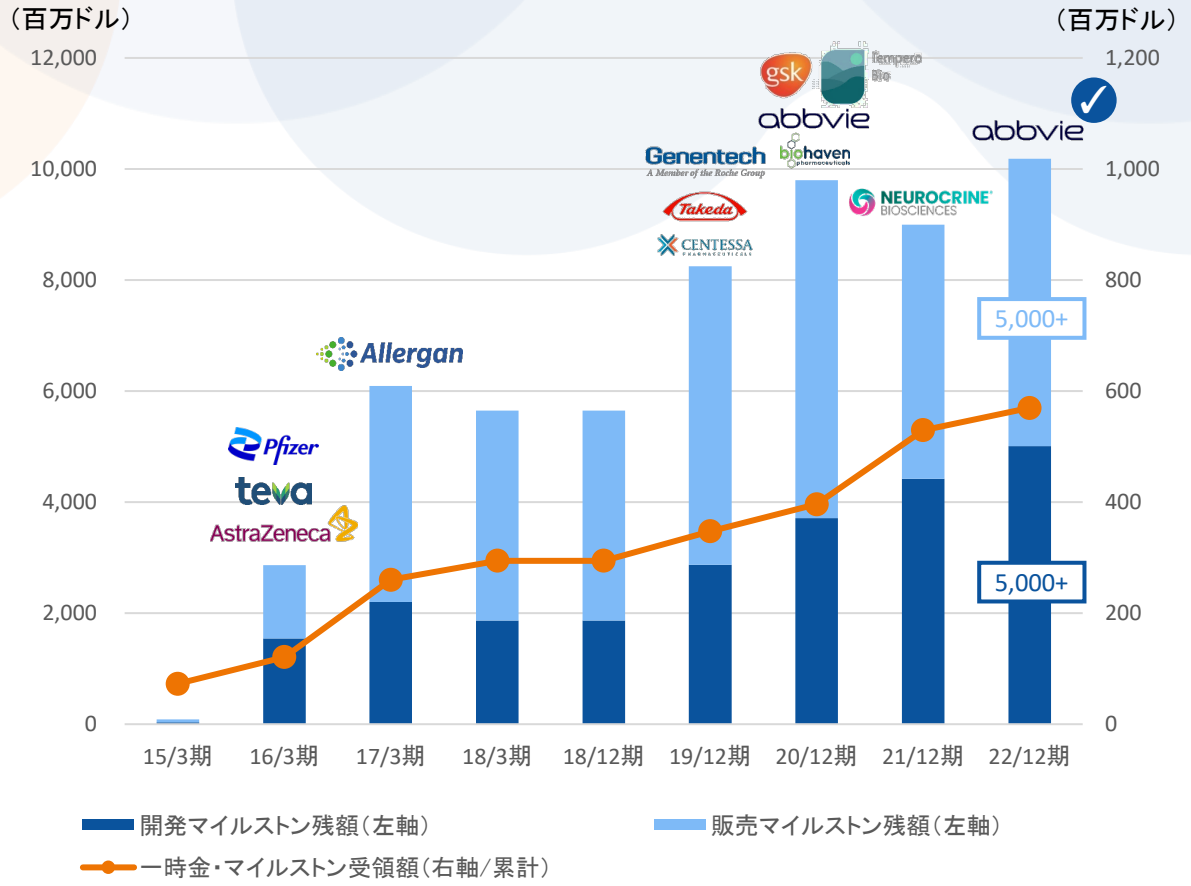
2

神経疾患に関する3つのGタンパク質共役受容体(GPCR)が標的

3

アッヴィ社とは、2020年の最初の提携以降、非常に生産的な協力関係を築いており、今回の2つ目の提携を迅速にスタート

既存契約のマイルストーン残高推移<sup>1</sup>



<sup>1</sup> 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テバ社、アッヴィ社(旧アラガン社)は、それぞれ18/3期、21/12期以降の残高から除外

# EP4拮抗薬 (HTL0039732)

がんに対する有望な治療法の開発を前進させるため、CRUKと新たに提携

**最高のネットワーク** – 世界をリードする科学者と臨床医との、他に例を見ない強力なネットワーク

**最高のインフラ** – 英国内の20の臨床センターで実施される、多施設共同治験

**費用とリスクの分散** – CRUKによる共同開発プロジェクトによって、投資とリターンを共有

**抗がん剤開発におけるWin-Winの関係の構築** – 当社グループは臨床試験結果と共同開発された知財に対するライセンスを保持し、CRUKは開発に成功した場合、将来の収益の一部を受け取る

27 PARTNERSHIPS TO DATE	11 (+1) PARTNERSHIPS CURRENTLY ACTIVE	8 ACTIVE LICENCES
-------------------------------	---	-------------------------

がんの開発は非常に複雑であり、当社は世界有数のパートナー企業と共に、これまで6つの医薬品を上市させた実績を持つCRUKと提携

出所: Cancer Research UK, Center for Drug Development

# 4つの自社開発品の推進

CRUKとの提携を含め、優先プログラムを早期臨床試験(フェーズ1b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
				
	<b>GPR52 作動薬</b>	<b>H4 拮抗薬</b>	<b>EP4 拮抗薬</b>	<b>EP4 作動薬</b>
特徴	<ul style="list-style-type: none"> <li>1日1回経口投与の低分子</li> <li>24時間標的に作用</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>1日1回経口投与の低分子</li> <li>単剤もしくは併用にて投与</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>1日1回経口投与の低分子</li> <li>チェックポイント阻害剤と併用にて投与</li> <li>CRUKと提携</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口投与、消化管に限定的に作用</li> <li>良好な有効性と選択性</li> <li>消化管全体への影響は最小限</li> </ul>
臨床開始 目安	2023年上期	2023年上期	2023年上期 	2023年末

3

## 研究開発の進捗

ヘプタレス社長兼英国研究開発ヘッド マット・バーンズ



# ムスカリンM4作動薬 (NBI-1117568)


ニューロクライン社がフェーズ2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

出所: ニューロクライン社 2022年第2四半期決算電話会議資料  
<https://www.neurocrine.com/assets/2022/08/NBIX-Q2-2022-Earnings-Presentation-Final-08.04.22.pdf>





# GLP-1 作動薬 (PF-07081532)

ファイザー社がベストインクラスとなり得る概要を発表、詳細は9月19-23日のEASDで発表予定

## PF-07081532: Potential Best-In-Class Once-Daily Oral GLP-1 Profile

Upcoming EASD Phase 1 data show rapid, robust reduction in glucose and body weight<sup>1</sup>

**99 mg/dL Reduction in Mean Daily Glucose after 6 weeks<sup>1</sup>**

Group	Mean Daily Glucose Reduction (mg/dL)
Placebo	-29
PF-07081532	-99

**5kg Reduction in Body Weight after 6 weeks<sup>1</sup>**

Group	Bodyweight Reduction (kg)
Placebo	-2
PF-07081532	-5

- Similar changes in body weight observed in participants with non-diabetic obesity
- Safety and tolerability profile consistent with GLP-1 RA class, further titration optimization in planned Phase 2 Study
- Three presentations<sup>2</sup> across oral GLP-1 RA franchise at EASD Annual Meeting, September 2022

EASD = European Association for the Study of Diabetes; T2DM = Type 2 Diabetes Mellitus; GLP-1 = Glucagon-like Peptide-1; RA = Receptor Agonist  
Results from Clinicaltrials.gov identifier: NCT04305587, Randomized, double-blind, placebo-controlled, multiple ascending dose Phase 1 Study in adults with T2DM and non-diabetic obesity

<sup>(1)</sup> Abstract #114, 58<sup>th</sup> Annual Meeting - Once-Daily Oral Small Molecule GLP-1R Agonist PF-07081532 Robustly Reduces Glucose and Body Weight within 4-6 Weeks in Adults with T2DM and Non-Diabetic Adults with Obesity, Modelled means presented, Mean baseline daily glucose 212 mg/dL, Mean baseline bodyweight in T2DM participants 90kg  
<sup>(2)</sup> Abstracts #114, 588, 589

**Second Quarter 2022 Earnings**

27

# 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

上期の進捗  
上期後の進捗

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	フェーズ1	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	

# 戦略的提携の位置づけ

基盤技術に基づき、新しい手法によりポテンシャルを最大化するコラボレーション



標的GPCRの発掘

当社の基盤技術


- StaR®
- SBDD
- クライオ電子顕微鏡
- DEL スクリーニング
- プロテインバインダーツールキット

治療薬候補の創出

# 戦略的提携パートナー

## 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

4

## 2022年度の目標

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル

# 2022年度の目標

当社事業の成長を加速させるため、これまでのところ2022年は順調に進展

## 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  
研究開発の変革と成長を進め、強力なトランスレー  
ショナル・メディシンの構築に向けた戦略的協働

  
世界トップレベルのがん共同開発パートナー



### 戦略的成長

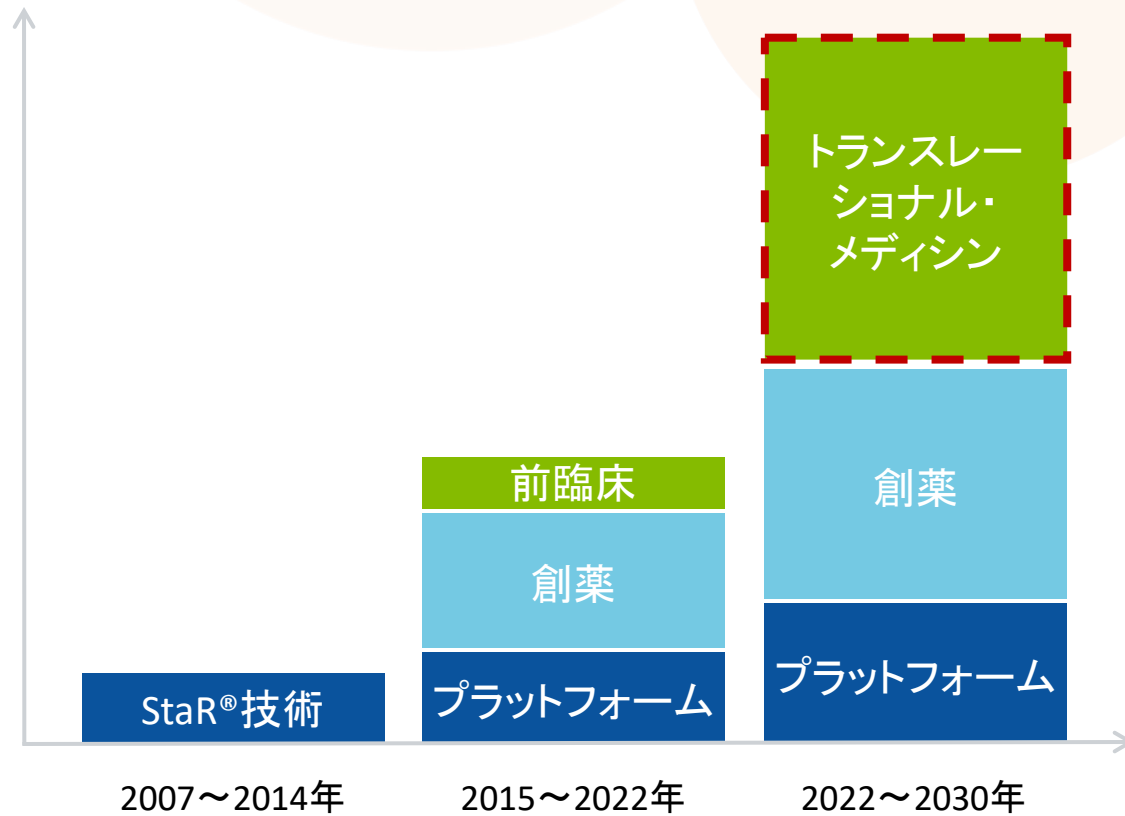
- 1 新たな収益源となる企業買収機会の継続的な探索
- 2 シナジーのある新規テクノロジーとの協業や投資
- 3 後期臨床開発品の日本市場への導入

 **verily KALLYOPE**  
データベースをフル活用し、次世代の新しい創  
薬ターゲットを発掘

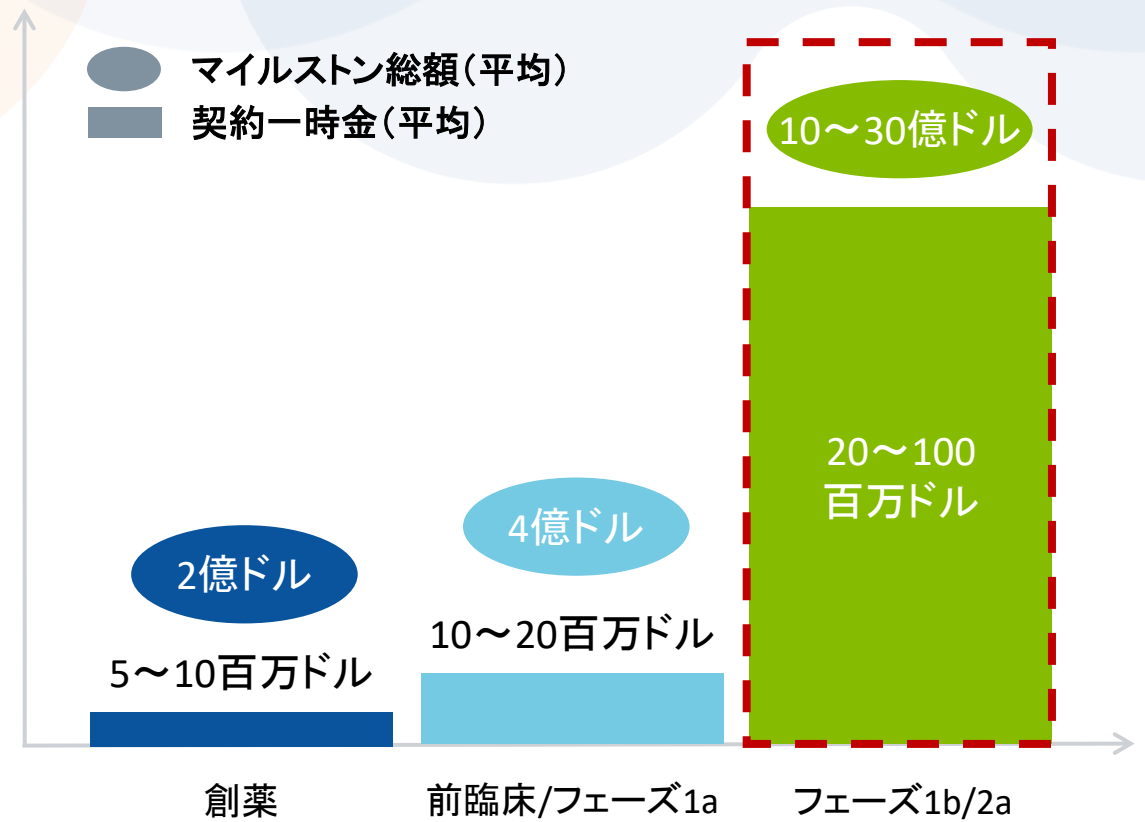
# 中長期的な企業価値向上の方向性

世界最高水準のサイエンスとトランスレーショナル・メディシンの拡充で長期的な価値を構築

## 企業価値向上のイメージ



## ステージ別のアライアンス規模の例





5

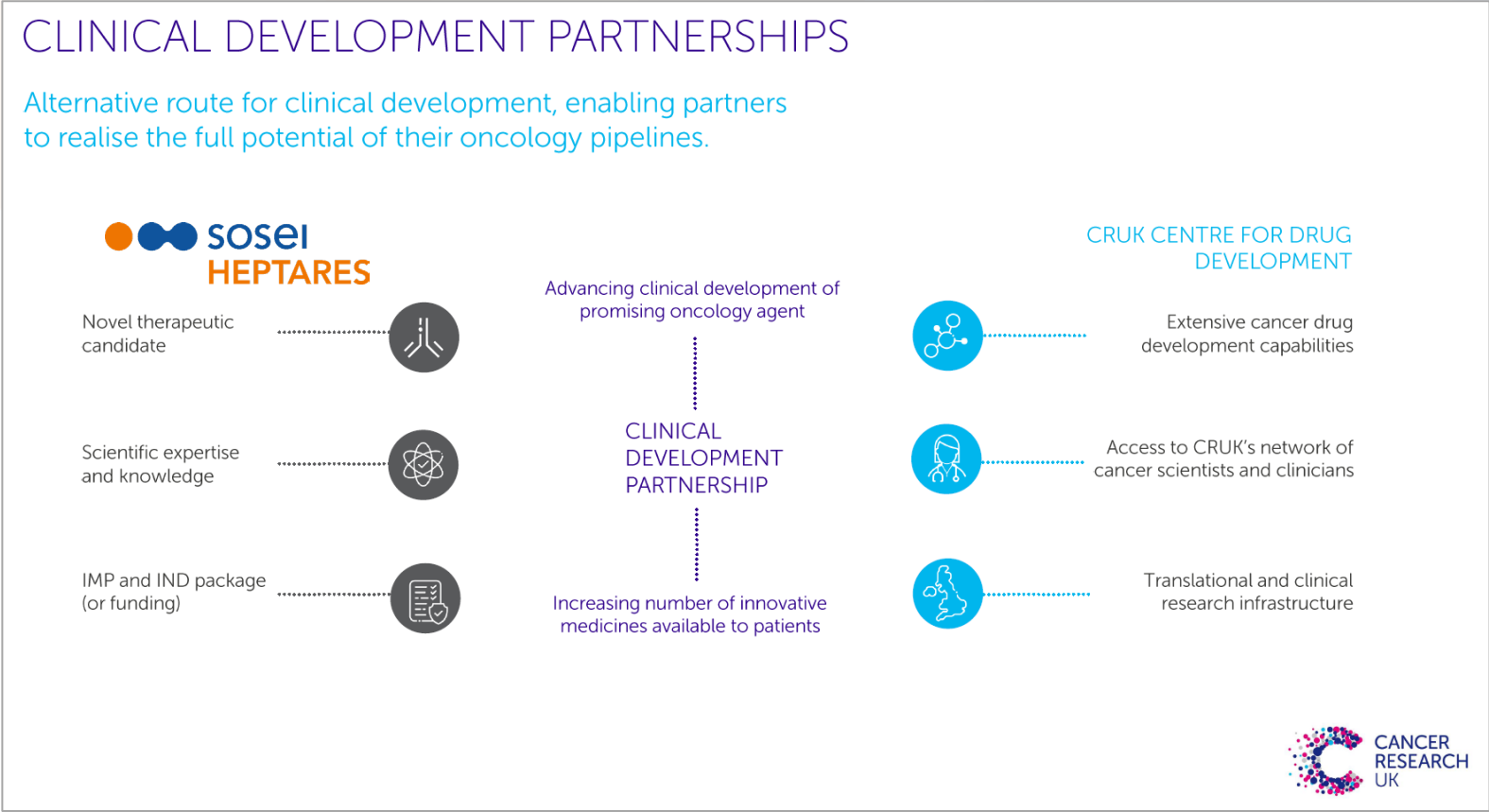
## 質疑応答

6

## 補足資料

# EP4拮抗薬 (HTL0039732)

ベストインクラスとなり得るがんの治療法開発を進めるため、CRUKと提携



CRUKとの提携により、最先端の抗がん剤開発を効率的に行い、革新的な医薬品を患者さまに最短で届けることを目指す

出所: Source: Cancer Research UK, Center for Drug Development

# 「コア営業利益」の導入

コア営業利益 — 当社グループビジネスの実態により近い財務指標

営業利益  
「IFRS」

- 国際財務報告基準 (IFRS) に準拠して記録・作成された業績

## + 重要な非現金支出費用

(減価償却費、無形資産の償却費、株式報酬費用、減損損失など)

## + 重要な一時的支出費用

(構造改革費用やその他の重要な一時的項目)

営業利益  
「コア」

- コア営業利益は2022年より算出・開示する新しい主要財務指標で、事業の潜在的な経常キャッシュ創出能力を示す
- コア営業利益は営業利益 (IFRS) + 重要な非現金支出費用 + 重要な一時的支出費用で定義
- 重要な非現金支出費用には、減価償却費、無形資産の償却費、株式報酬費用、減損損失などが含まれる
- 重要な一時的支出費用には、構造改革費用やその他の重要な一時的項目が含まれる
- コア営業利益 = 現金利益 + 重要な一時的支出費用

	現金	非現金 (主なもの)
経常的	「コア」 ベースの費用	
一時的 (主なもの)		「IFRS」ベースの費用

# 提携済パイプライン①

上期の進捗  
上期後の進捗

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	第I相	第II相	第III相	申請	販売
ライセンス											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティブロ®	LAMA+LABA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
エナジア®	LAMA+LABA+ICS	低分子	喘息	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
オラビ®	抗真菌薬ミコナゾール	低分子	口腔咽頭カンジダ症	Nisamitsu	■	■	■	■	■	■	■
Imaradenant <sup>1</sup>	アデノシンA2a拮抗薬(併用)	低分子	mCRPC	AstraZeneca	■	■	■	■	■	■	■
HTL0016878	ムスカリンM4作動薬	低分子	統合失調症	NEUROCRINE BIOSCIENCES	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1作動薬	低分子	神経疾患	NEUROCRINE BIOSCIENCES	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1/M4作動薬	低分子	神経疾患	NEUROCRINE BIOSCIENCES	■	■	■	■	■	■	■
PF-07081532	GLP-1作動薬	低分子	2型糖尿病/肥満	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
PF-07054894	CCR6拮抗薬	低分子	炎症性腸疾患	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
PF-07258669	MC4拮抗薬	低分子	拒食症	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	CGRP拮抗薬	低分子	神経疾患	biohaven pharmaceuticals	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	GPR35作動薬	低分子	炎症性腸疾患	gsk	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	複数の適応症	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数の適応症	Genentech A Member of the Roche Group	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	消化器疾患・その他	Takeda	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	炎症性疾患	abbvie	■	■	■	■	■	■	■

注:シーブリ®、ウルティブロ®、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。<sup>1</sup> A2a拮抗薬は2021年第3四半期にアストラゼネカ社のパイプラインから削除

# 提携済パイプライン②

上期の進捗  
上期後の進捗

製品名/開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	パートナー	基礎	前臨床	第I相	第II相	第III相	申請	販売
<b>共同開発</b>											
KY1051	抗CXCR4抗体	モノクローナル抗体	がん免疫	sanofi	■						
(非開示)	PAR-2	ペプチド	炎症性疾患	PeptiDream	■						
(非開示)	標的タンパク質分解誘導薬	低分子	消化器疾患	Captor Therapeutics	■						
(非開示)	AI創薬	低分子	神経疾患	PHARMENABLE	■						
(非開示)	イオンチャネル創薬	低分子	神経疾患	metrion	■						
(非開示)	AIによる複数標的の探索	低分子/生物製剤	免疫疾患	Inveni AI	■						
(非開示)	抗体創薬	モノクローナル抗体	疾患に関連するGPCR	TWIST	■						
(非開示)	AIによる複数標的の探索	低分子	免疫疾患	verily	■		✓				
(非開示)	脳腸軸に基づく標的の探索	低分子	消化器疾患	KALLYOPE	■		✓				
<b>共同出資</b>											
TMP301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害	tempero Bio	■						
(非開示)	OX2作動薬(経鼻)	ペプチド	ナルコレプシー	CENTESSA, Orexia Therapeutics	■						
(非開示)	OX2作動薬(経口)	低分子	ナルコレプシー	CENTESSA, Orexia Therapeutics	■						

# 自社開発パイプライン

開発コード	ターゲット/作用機序	モダリティ	適応症	オリジネーター	基礎	前臨床	第 I 相	第 II 相	第 III 相	申請	販売
<b>自社開発品</b>											
(非開示)	H4拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	■						
HTL0039732	EP4拮抗薬	低分子	がん免疫	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	GPR52作動薬	低分子	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	EP4作動薬	低分子	炎症性腸疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	PAR-2抗体	モノクローナル抗体	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	SARS CoV-2 Mpro阻害薬	低分子	コロナウイルス感染症	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	消化器・炎症性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	免疫疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
<b>自社開発品 (これ以上の自社での資金投入は行わず、アカデミアまたは製薬企業等との提携を目指す)</b>											
HTL30310	SSTR5作動薬	ペプチド	低血糖症	●●● SOSEI HEPTARES	■	■					
HTL'097	GLP-1拮抗薬	ペプチド	低血糖症	●●● SOSEI HEPTARES	■	■					
HTL'023	デュアルGLP-2/GLP-1作動薬	ペプチド	腸管障害/NASH	●●● SOSEI HEPTARES	■	■					
(非開示)	Apelin作動薬	ペプチド	肺動脈性肺高血圧症	●●● SOSEI HEPTARES	■	■					
HTL'641	デュアルオレキシン拮抗薬	低分子	不眠症/睡眠障害	●●● SOSEI HEPTARES	■	■					



# 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 <sup>2</sup>	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 <sup>1</sup>	-	-	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 <sup>3</sup> (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1,000万人	-	-	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 <sup>1</sup> 薬物依存症の患者数として記載

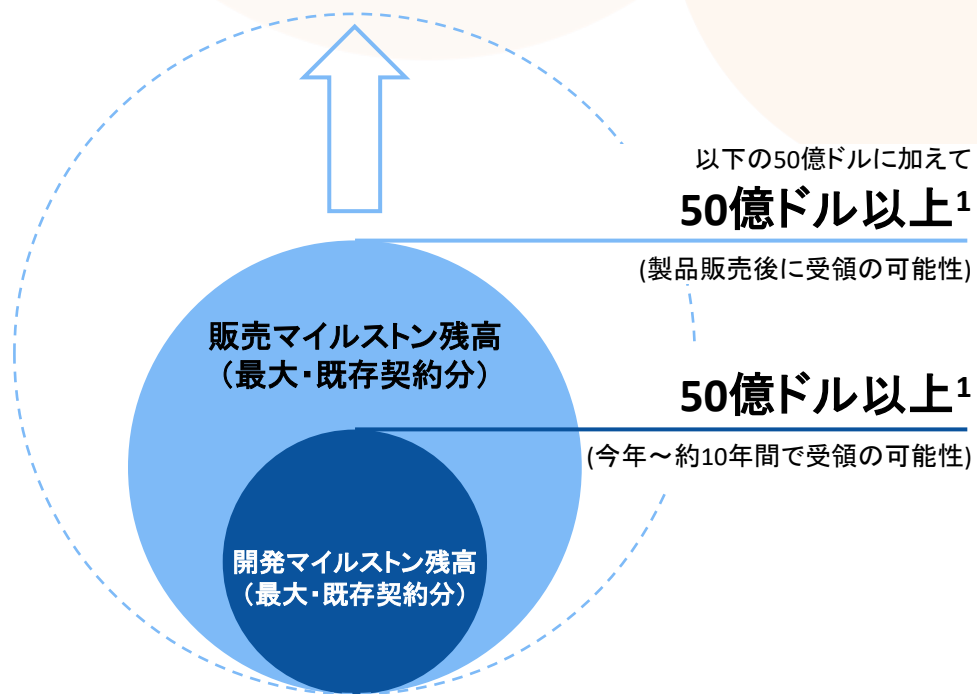
出典(ピーク売上高): EvaluatePharmaの疾患別売上高と個別製品のうち当該疾患分の売上高を記載(2022/6/30時点) <sup>2</sup> 当社グループは特定疾患の市場の中の一つのセグメントを対象とする可能性

<sup>3</sup> 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

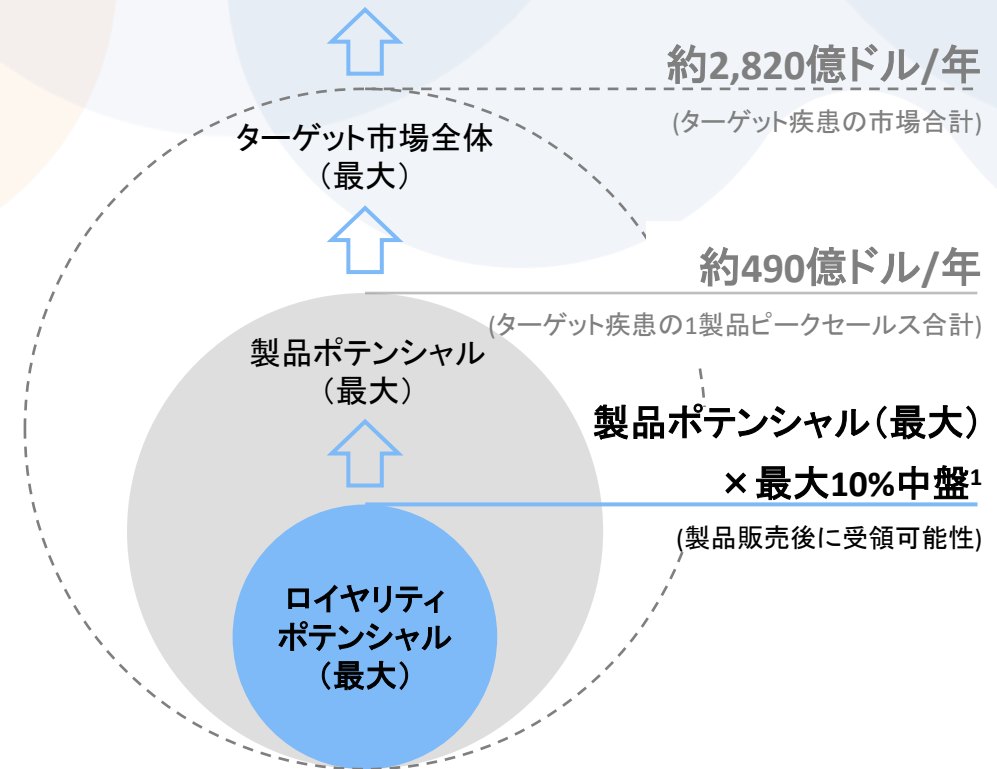
# 既存ライセンス契約のポテンシャル

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

<sup>1</sup>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

# 主要なライセンス契約

アッヴィ社と神経疾患領域の複数ターゲットを対象とした新たな創薬提携を2022年8月に締結

提携先	契約締結日	プログラム	治療領域	契約一時金・ 初期マイルストーン	将来受領可能性な 最大マイルストーン <sup>1</sup>
	2022年8月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	神経疾患	80百万ドル	12億ドル
	2021年11月	M4、M1、M1/M4作動薬の ライセンス契約と研究開発提携	神経疾患	100百万ドル	26億ドル
	2020年12月	GPR35作動薬のライセンス契約 と研究開発提携	消化器疾患/免疫疾患	44百万ドル	4.8億ドル
	2020年12月	CGRP拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携	神経疾患	10百万ドル	3.8億ドル
	2020年6月	ライセンスオプションを 含む創薬提携 <sup>2</sup>	炎症性疾患/自己免疫	32百万ドル	4億ドル
	2019年8月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数 当面は消化器疾患に注力	26百万ドル	12億ドル
	2019年7月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	26百万ドル	10億ドル
	2015年11月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	--	18億ドル
	2015年8月	A <sub>2a</sub> 拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携 <sup>3</sup>	がん免疫	10百万ドル	5億ドル

<sup>1</sup> 将来受け取る権利を有するオプション行使料、開発/承認/商業化マイルストンの総額。これとは別に製品が販売された場合には、ロイヤリティとして売上高の一定割合(通常1桁中盤~2桁の段階的ロイヤリティ)を受領する権利を有する。<sup>2</sup> アッヴィは最大3つのターゲットを追加的に選定できるオプションを有する。<sup>3</sup> アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A<sub>2a</sub>プログラムを臨床パイプラインから削除しています。

# 用語集①

基礎用語・基礎技術		
GPCR	G Protein-Coupled Receptor	Gタンパク質共役受容体。人体に約800種類あることが知られ、そのうち400種類が創薬ターゲットになりうるということが知られているが、約300種類に対してはまだ薬がない
StaR®	Stabilised Receptor	GPCRに人工的に点変異を起こし、構造を安定化する当社独自の技術。安定化したGPCRの立体構造を解明し、SBDDでの創薬への利用や抗原として抗体医薬の創薬を行うことが可能
SBDD	Structure-Based Drug Design	構造ベース創薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の三次元構造を解析し、それに基づいてコンピューター上で医薬品を設計する手法
TPD	Targeted Protein Degradation	標的タンパク質分解誘導薬。創薬ターゲットとなるタンパク質(受容体など)の細胞内での分解を促進し、量を減らすことで治療効果を狙う薬剤
PAM	Positive Allosteric Modulator	陽性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を増加させる調整因子
NAM	Negative Allosteric Modulator	陰性アロステリック調整因子。受容体の通常とは異なる活性部位(アロステリック部位)に結合し、作動物質の親和性と効果を減少させる調整因子
Ag	Agonist	アゴニスト: 作動薬。受容体に結合し、生体内物質と同様の細胞内情報伝達系を作動させる薬物
Ant	Antagonist	アンタゴニスト: 拮抗薬。受容体に結合し、本来結合すべき生体内物質と受容体の結合を阻害し、生体反応を抑制する薬物
PK	Pharmacokinetics	薬物動態。薬剤の用法・用量と血中濃度の関係に関する研究・試験。主にADMEの速度過程を記述する
PD	Pharmacodynamics	薬力学。薬物濃度と薬理効果の関係に関する研究・試験
ADME	Absorption, Distribution, Metabolism and Excretion	吸収(absorption)・分布(distribution)・代謝(metabolism)・排泄(excretion)の頭文字。薬物の体内への吸収、体内への分布、肝臓などでの代謝、腎臓などでの排泄の一連の流れ
POM	Proof of Mechanism	作用機序の検証。主にバイオマーカーなどを通じて、作用メカニズムの証明を行うこと。POCよりも少数例で有効性を可能性を示唆する意味合い
POC	Proof of Concept	治療概念の実証。主に臨床での有効性と安全性によって、治療概念の証明を行うこと
Ach	Acetylcholine	アセチルコリン。副交感神経や運動神経の末端から放出され、神経刺激を伝える神経伝達物質
IND	Investigational New Drug	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に臨床試験の開始時に提出する、開発候補品の情報をまとめたパッケージとその提出
Ph1	Phase1	ヒトでの試験。第I相臨床試験ともいう。主に健康なボランティアによって開発候補品の安全性を確認することを主目的とする
Ph2	Phase2	ヒトでの試験。第II相臨床試験ともいう。主に小規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確認することを主目的とする
Ph3	Phase3	ヒトでの試験。第III相臨床試験ともいう。主に大規模(但し、疾患によって人数は大きく異なる)に患者様を対象とし開発候補品の有効性を確定させることを主目的とする
NDA	New Drug Application	米国FDA(アメリカ食品医薬品局)に対して行う、新薬を市販するための承認申請
疾患名・薬品名		
LAMA	Long Acting Muscarinic Antagonist	長時間作用型抗コリン薬。副交感神経を亢進させるアセチルコリンの受容体(M3)に作用し、その働きを阻害することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
LABA	Long Acting Beta2-Agonist	長時間作用型β <sub>2</sub> 刺激薬。気管支の交感神経β <sub>2</sub> 受容体を刺激することによって気管支を拡張し、呼吸機能を改善する吸入薬
ICS	Inhaled Corticosteroid	吸入ステロイド薬。抗炎症作用で気道の炎症を抑制し、喘息による咳の発作などを予防し、また、β <sub>2</sub> 刺激薬の作用を促進し、気道過敏性を改善する吸入薬
mCRPC	Metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer	転移性去勢抵抗性前立腺がん。前立腺がんの発生・進行に関与している男性ホルモンを抑える治療を行っているにもかかわらず、再び病状が悪化(再燃)してしまった前立腺がん
COPD	Chronic Obstructive Pulmonary Disease	慢性閉塞性肺疾患。喫煙や有害物質を吸入することで気管支や肺泡がダメージを受け呼吸障害をきたした病態
AD	Alzheimer's Disease	アルツハイマー病。脳の神経細胞の減少、脳の一部の萎縮により認知機能が徐々に低下していく神経変性疾患で、認知症の中で最も多いタイプ
DLB	Dementia with Lewy Bodies	レビー小体型認知症。大脳皮質の神経細胞にレビー小体という物質が沈着し、認知症を生じるもの。アルツハイマー病に次ぎ、2番目に多い認知症

# 用語集②

創薬ターゲット関連		
M1	Muscarinic M1 Receptor	ムスカリンM1受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。学習、記憶に関与していると考えられている
M4	Muscarinic M4 Receptor	ムスカリンM4受容体。アセチルコリン受容体の一種であるムスカリン受容体の5種のサブタイプM1～M5の1つ。行動、ドーパミン放出に関与していると考えられている
CGRP	Calcitonin Gene-Related Peptide	カルシトニン遺伝子関連ペプチド。受容体を介して血管拡張、心拍数減少および心筋収縮力増大などに関与していると考えられている
A2A	Adenosine A2A receptor	アデノシンA2A受容体。アデノシン受容体の4種のサブタイプA1、A2A、A2B、A3の1つ。多くの組織に発現し神経活動、血管拡張、免疫調整など多くの機能を持つとされる
GLP-1	Glucagon-like Peptide 1	グルカゴン様ペプチド-1。食事をとると消化管細胞より分泌され、受容体を介した膵臓からのインスリン分泌や中枢での食欲調整に関与するとされる
CCR6	Chemokine Receptors 6	炎症時に発生するケモカインに対応する、Bケモカイン受容体の一種。主に炎症組織内への白血球の遊走活性を制御することで、炎症・免疫に関係するとされている
MC4	Melanocortin 4 Receptor	メラノコルチン受容体4。中枢神経系に発現し、αメラノサイト刺激ホルモンの食欲抑制作用を媒介する主たる受容体
GPR35	G Protein-Coupled Receptor 35	Gタンパク質共役受容体35。オーファン受容体。主に免疫および胃腸組織で発現し、消化管や循環器、炎症、中枢神経系の疾患に関与していると考えられている
CXCR4	CXC Motif Chemokine Receptor 4	CXCモチーフケモカイン受容体タイプ4。がん細胞の遊走を誘導し、転移などの過程に重要であるとされる
mGlu5	Metabotropic Glutamate Receptor 5	代謝型グルタミン酸受容体5。中枢神経系に発現する代謝型グルタミン酸受容体の1つ。グルタミン酸はヒトの神経系で最も豊富に存在する興奮性神経伝達物質として知られる
OX1, OX2	Orexin 1 Receptor, Orexin 2 Receptor	オレキシン1受容体およびオレキシン2受容体。オレキシンは、神経ペプチドの一種であり、受容体を介して覚醒の安定化および睡眠の抑制に関与していると考えられている
GPR52	G Protein-Coupled Receptor 52	線条体において多く発現するオーファン受容体。精神・神経疾患における前頭葉線条体および大脳辺縁系のドーパミンの調節に役割を果たす可能性がある
H4	Histamine H4 Receptor	ヒスタミンH4受容体。特に免疫系細胞に多く発現し、炎症やアレルギーに関与していると考えられている
EP4	Prostaglandin EP4 Receptor	プロスタグランジンE受容体4。自然免疫および獲得免疫を抑制し、腫瘍の進行を誘導すると考えられている
PAR2	Protease-Activated Receptor 2	プロテアーゼ活性化受容体2。炎症、腫瘍転移、胃腸運動、痛み、かゆみのような多くの生理学的および病態生理学的プロセスに関連していると考えられている
SSTR5	Somatostatin Receptor 5	ソマトスタチン受容体5。主に小腸内分泌細胞や膵β細胞に発現している受容体で、ソマトスタチンの結合でGLP-1やPYYなどの消化管ホルモンの分泌を抑制する
GLP-2	Glucagon-like Peptide 2	グルカゴン様ペプチド-2受容体。腸内GLP-2は、栄養摂取時にGLP-1とともに分泌され、腸管の修復、保護にはたらく
Mpro	SARS-CoV-2 Main Protease	SARS-CoV-2 (COVID-19の原因ウイルス)のメインプロテアーゼ(Mpro)。Sars-CoV-2の複製に必須な酵素。抗ウイルス薬の開発に際して標的となるタンパク質の一つ
D2	Dopamine Receptor D2	ドーパミンD2受容体。ドーパミンは運同調節や意欲・学習などに関わる脳内神経伝達物質であり、パーキンソン病や統合失調症に関連していると考えられている
5-HT	5-Hydroxytryptamine Receptor	5-ヒドロキシトリプタミン(セロトニン)受容体。セロトニンは、中枢神経系の伝達物質として、脳機能の調節において重要な役割を果たすと考えられている
オーファン受容体		遺伝子解析などにより存在が知られているものの、リガンドが特定されていない受容体。孤児受容体ともいう
リガンド		特定の受容体に対応して、生体内で特異的に結合する物質。ホルモンや神経伝達物質など。例えば、ムスカリン受容体のリガンドはアセチルコリン



## SOSEI HEPTARES

〒102-0083

東京都千代田区麹町2-1

PMO半蔵門11F

Steinmetz and Cori Buildings

Granta Park, Cambridge

CB21 6DG

United Kingdom

North West House

119 Marylebone Road

London NW1 5PU

United Kingdom