

# 2022年12月期(1月-12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 戦略アップデート
- 3 ビジネスハイライト
- 4 研究開発の進捗
- 5 2023年度以降の目標
- 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

# 連結業績

執行役副社長CFO 野村広之進

# 2022年12月期(1月-12月)業績ハイライト

好調な売上とキャッシュフローを維持し、将来の成長に向けた研究開発投資を着実に実行

1

**売上収益は15,569百万円(前年:17,712百万円)**

契約一時金は、21年にニューロクライン社から114億円を受領した一方、22年はアツヴィ社とイーライリリー社からの合計47億円にとどまる。マイルストーンは増加し、契約一時金減少を一部相殺

2

**営業利益は3,436百万円(前年:3,775百万円)、コア営業利益は5,856百万円(前年:8,904百万円)**  
売上収益の減少に加えて、将来の成長に向けコア研究開発費が1,324百万円増加

3

**当期利益は383百万円(前年:1,017百万円)**

関連会社MiNA社に関し、持分法で会計処理されている投資の減損損失1,836百万円を計上

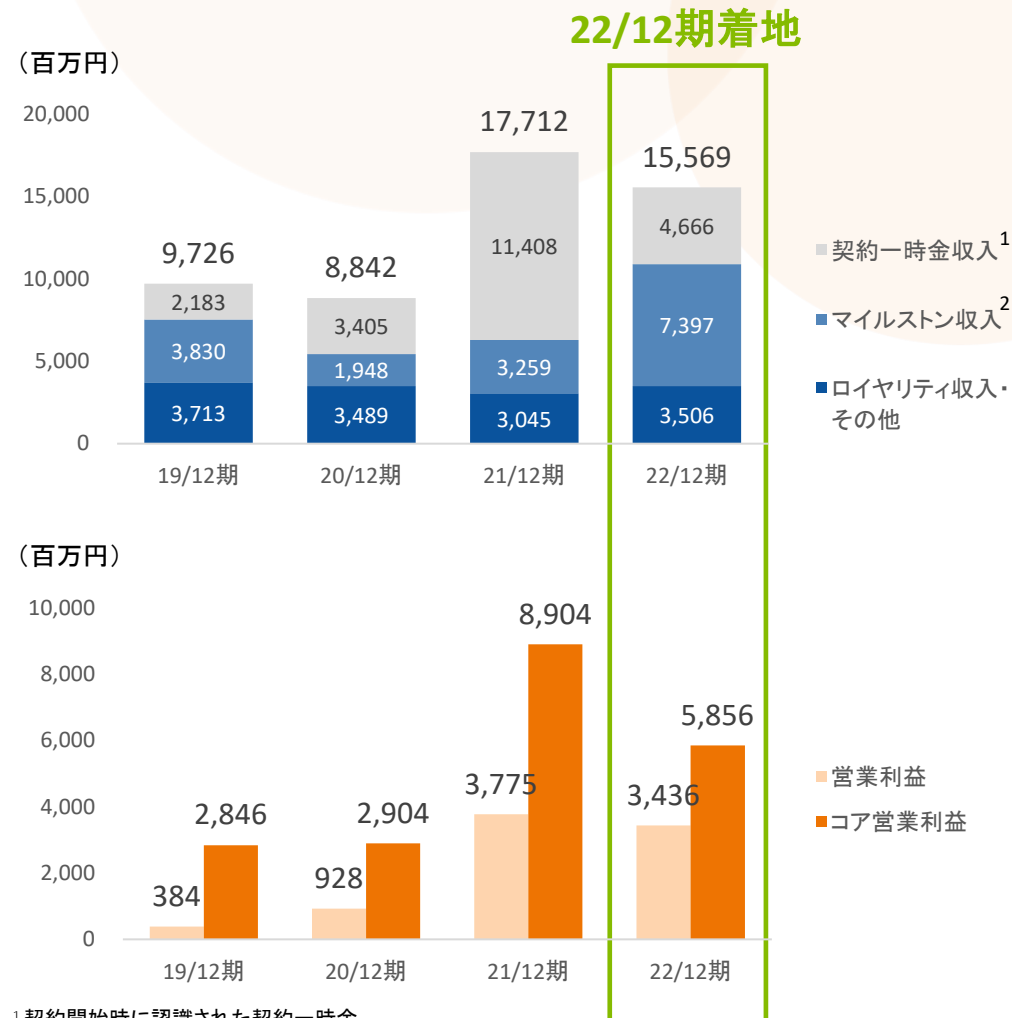
4

**現金及び現金同等物は666億円**

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

# 主要決算数値

前年同期に大型の契約一時金収入があったことから、売上収益は前年比では減少



<sup>1</sup> 契約開始時に認識された契約一時金

<sup>2</sup> マイルストーン達成時に認識されたマイルストーン収入+前受金取崩額

## 売上収益

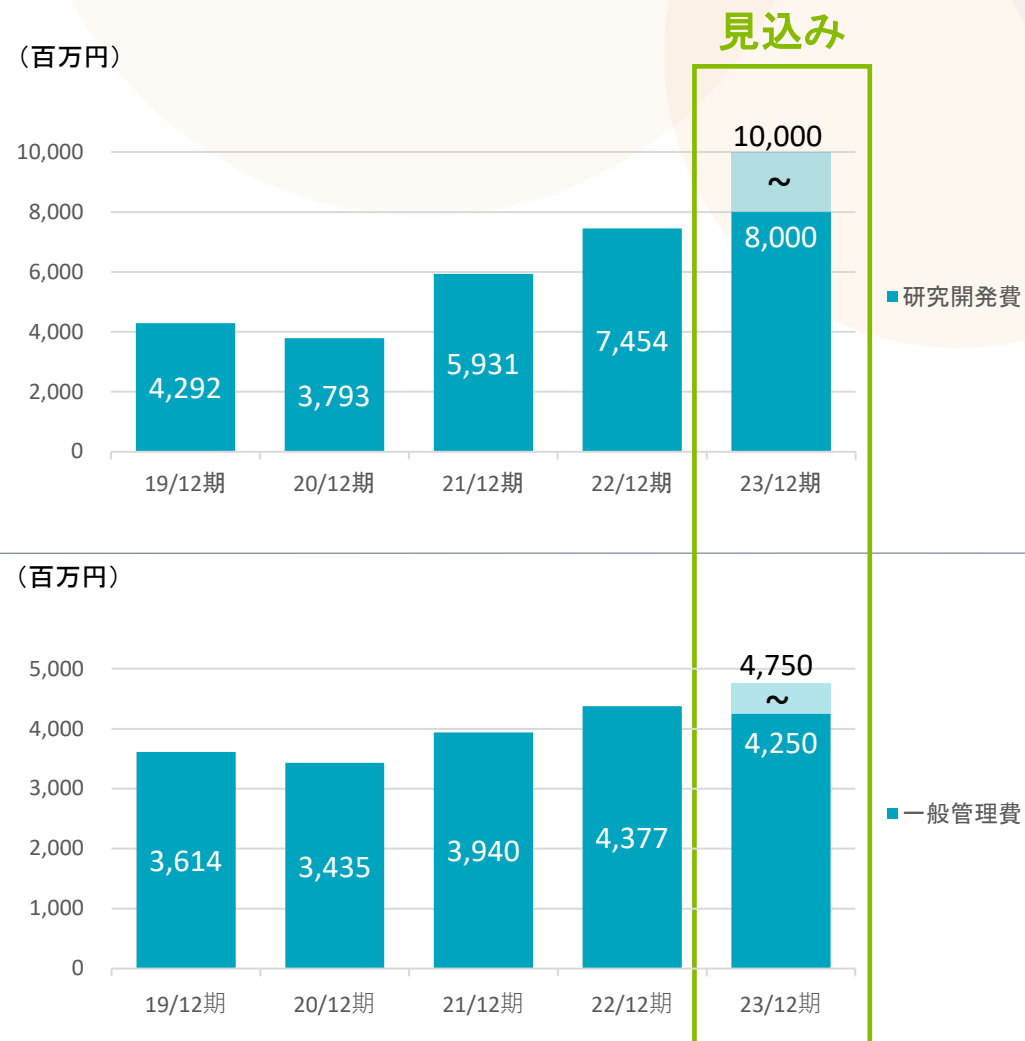
- 新規契約の一時金やマイルストンの達成の有無で每期変動の可能性
- 21/12期はニューロクライン社からの大型の契約一時金(114億円)があったため、22/12期の売上収益は前年比で約21億円減少
- 22/12期は、以下の契約一時金を達成
  - ・ イーライリリー社との糖尿病・代謝性疾患での新規提携
  - ・ アッヴィ社との神経疾患での新規提携
- 22/12期は、5件のマイルストーン(武田薬品、ジェネンテック、アッヴィ、ファイザー、ニューロクライン)を達成し、マイルストーン収入は大幅増

## 営業利益

- コア研究開発費は、主に自社創薬の加速、円安、インフレの影響で、1,143百万円増加
- コア一般管理費は、COVIDの制限緩和による事業活動の全般的な増加(専門家報酬、出張、研修を含む)に加え、円安、インフレの影響で、345百万円増加
- 一過性の構造改革費用として、第1四半期に533百万円を計上(主に執行役3名の退任によるもの)

# 2023年12月期の費用見込み

中長期での高いリターン目指すため、引き続き研究開発を中心に投資を強化



## 研究開発費 (IFRSベース)

8,000百万円～10,000百万円

- プラットフォームを拡充し、探索能力の向上を図る
- プログラム中心の臨床開発に注力、トランスレーショナルメディスン機能の向上
- より価値の高いライセンスに向け、優先プログラムをフェーズ1b試験に進める

## 一般管理費 (IFRSベース)

4,250百万円～4,750百万円

- 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・ガバナンスの絶え間ない強化
- 東証プライム市場上場に向けた取り組み

## 2

# 戦略アップデート

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル



# そー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す

患者さまに医薬品を届ける、  
開発、メディカルアフェアーズ、  
販売機能

世界をリードするサイエンス

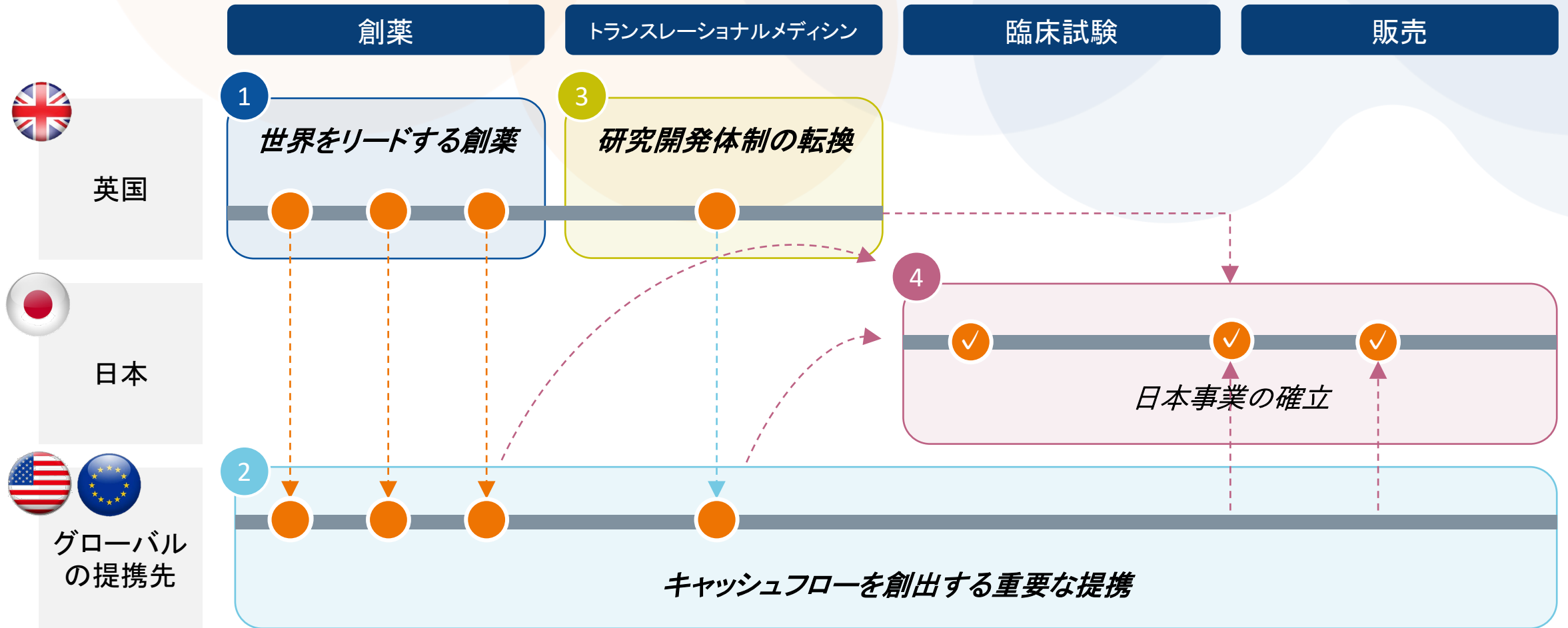
人生を変える医薬品

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



# 明確な成長戦略

4つの戦略目標に注力する



# 世界をリードするGPCR創薬

当社が15年のアドバンテージがあるGPCR創薬分野において、第二の黄金期が到来

約**400**個  
疾患に関する  
GPCR<sup>2</sup>

約**34%**  
のFDA承認薬  
がGPCRを  
ターゲットに  
している<sup>1</sup>

世界の売上  
の**27%**が  
GPCR医薬品<sup>1</sup>

神経疾患

消化器系疾患

免疫疾患/がん

代謝性疾患

心血管疾患

呼吸器系疾患

**Septerna emerges with \$100M to spark 'second golden age' of prolific drug target GPCR with pioneer as co-founder**

By Kyle LaHucik · Jan 27, 2022 07:00am

**With \$255M antibody biotech buy, AbbVie spies opportunity to take on tricky GPCRs**

By James Waldron · Oct 20, 2022 12:40pm

**Structure finalizes \$111M IPO while cancer-focused Intensity reveals Nasdaq ambitions**

By James Waldron · Jan 30, 2023 10:59am

GPCRは多くの疾患に関係し、幅広い治療への応用可能性を秘めている

GPCRをターゲットとして数十年間に700以上の医薬品が承認されており、現在も十分な開発対象である<sup>3</sup>

Sources: <sup>1</sup> "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016; <sup>2</sup> "Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews, 2017; <sup>3</sup> "Septerna emerges with \$100m to spark second golden age of prolific drug target GPCR with pioneer as co-founder" by Kyle LaHucik via Fierce Biotech, Jan 27 2022;

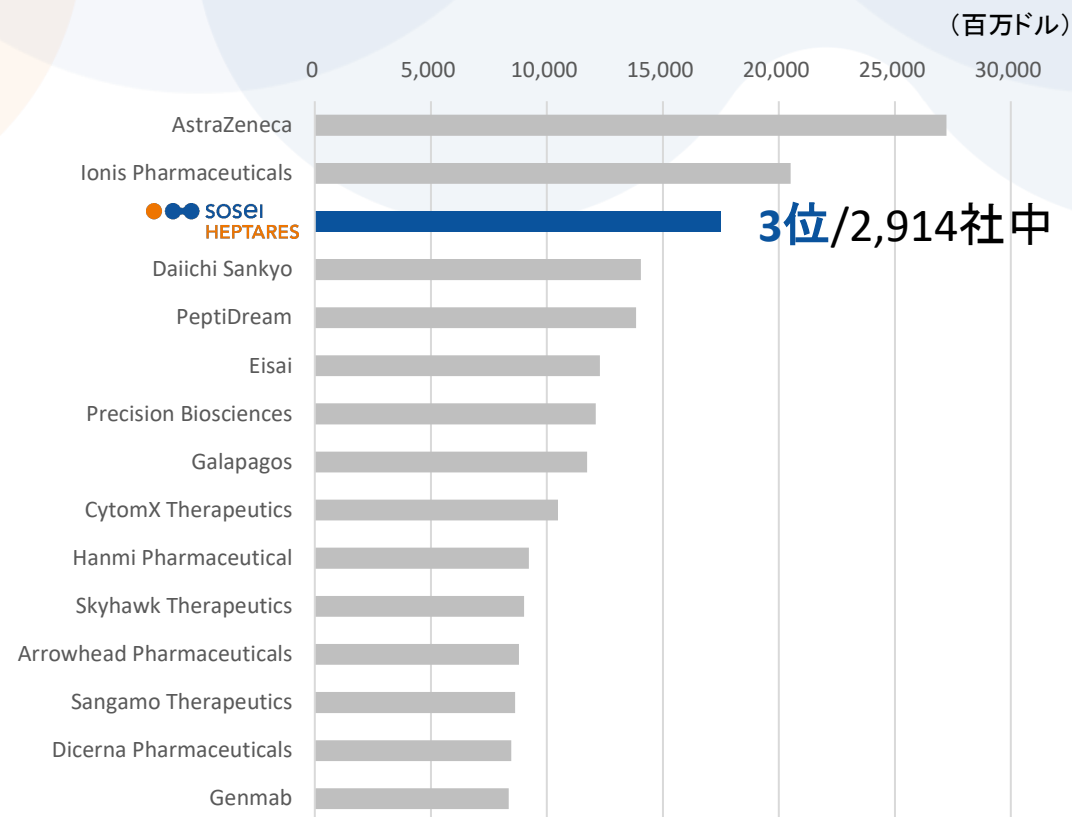
# 重要なライセンスパートナー

既存のライセンス先からの収入により、自己資金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<sup>1</sup>



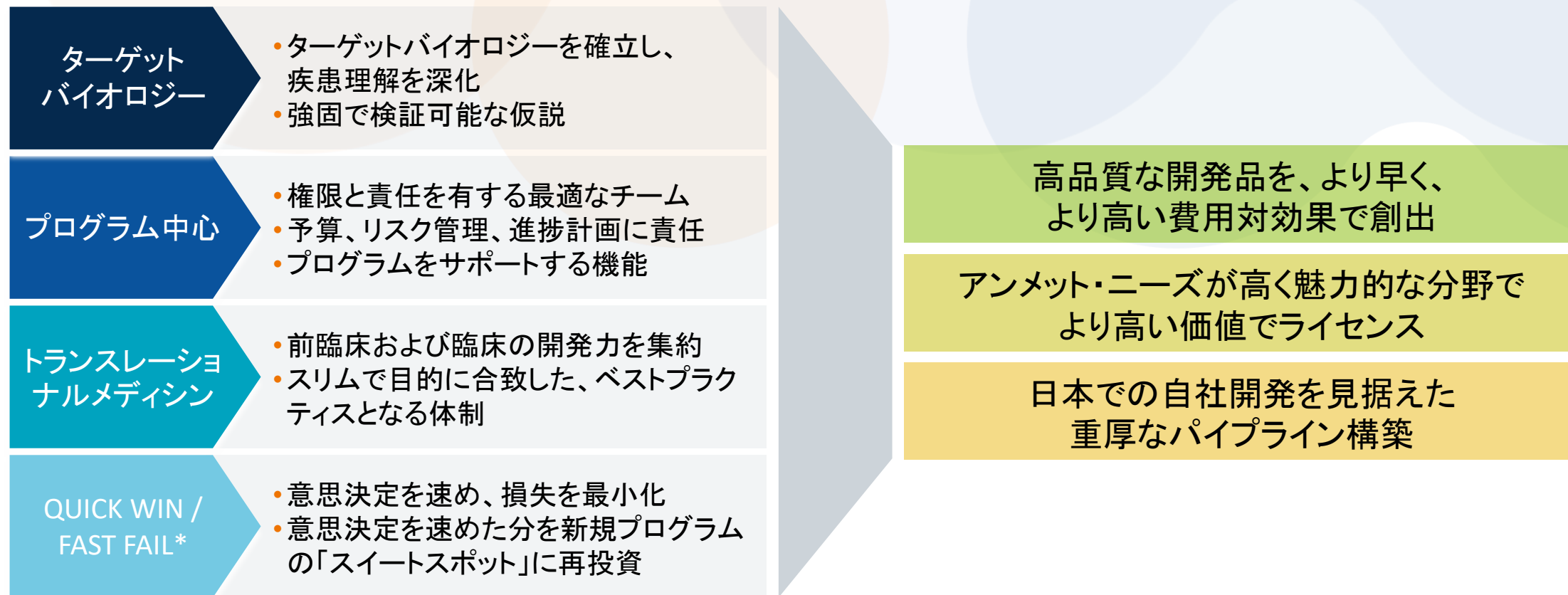
製薬/バイオ企業のライセンス金額ランキング上位15社<sup>2</sup>  
(2015年以降累計)



<sup>1</sup> 現在契約中のも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。<sup>2</sup> 第三者(EvaluatePharma社)独自のデータベースの「Licensing」の分類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(2023/2/6時点)より作成(右図)

# 研究開発体制の転換

より高い投資対効果を実現するため、研究開発を効率化し、成功確率を高める



最先端のサイエンスを優れたオペレーションで補完し、効率性、成功確率 (PoS)、投資収益率 (ROI) を向上

\* 短期間で成否を検証し意思決定を行う効率の良い開発戦略

# 日本事業の確立

日本において、従来にない医薬品事業を確立する大きなチャンス



世界2位の市場  
(除く中国)



高齢化  
社会



国民皆保険  
制度

●●● sosei  
HEPTARES

**ターゲット:** アンメット・ニーズの高いニッチなスペシャリティケア領域

**採用モデル:** スリムかつ合理的な開発・商業モデル

**ビジネス構築:** 日本をコアとしつつAPAC全体で価値を最大化



安定的で  
イノベーション  
が評価される  
市場



一部の  
競争が  
弱体化



ディスラプター  
にとって魅力的  
な市場

3

## 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

# パートナー/パイプライン一覽

基礎研究 / 探索

前臨床開発

第1相

第2相

第3相

上市済み

15以上のプログラム

開発中の主要パイプライン

創薬提携(進行中/実施済)

複数ターゲット 複数ターゲット 消化器系疾患 炎症性神経疾患 糖尿病代謝性疾患

技術提携

M<sub>1</sub>M<sub>4</sub> 作動薬 NBI'570  
神経疾患



CCR6 拮抗薬 PF'894  
炎症性腸疾患



M<sub>4</sub> 作動薬 NBI'568  
統合失調症



M<sub>1</sub> 作動薬  
神経疾患



MC4 拮抗薬 PF'669  
拒食症



GLP-1 作動薬 PF'532  
2型糖尿病/肥満



GPR35 作動薬  
炎症性腸疾患



mGlu<sub>5</sub> NAM TMP-301  
物質使用障害



CXCR4 抗体 KY1051  
がん免疫



ウルティプロ®  
COPD



シーブリ®  
COPD



エナジア®  
喘息



オラビ錠®  
口腔咽頭カンジダ症



10以上のプログラム

EP4 拮抗薬 HTL'732  
がん免疫



GPR52 作動薬  
神経疾患

EP4 作動薬  
炎症性腸疾患

M<sub>1</sub> 作動薬 (日本)  
神経疾患

2022年以降の進捗

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。

提携

自社開発



# 2022年以降の主な進捗①

複数の新規提携により、プラットフォームの価値をさらに向上

## 基礎研究/探索における進捗

1

世界をリードする  
創薬



**verily**

AIにより新規GPCRターゲットを特定済



**KALLYOPE**

新規ターゲット探索のための新プラットフォーム



**Genentech**  
A Member of the Roche Group

複数のプログラムにおいて5件のマイルストーンを達成



**abbvie**

神経疾患の複数ターゲットに対する最大12億ドルの新規提携  
炎症性疾患の提携から10百万ドルのマイルストーンを受領



**Lilly**

糖尿病および代謝性疾患領域の複数のターゲットに対する  
最大7億ドルの新規提携

## 2022年以降の主な進捗②

2つの後期臨床試験の開始など、臨床段階のプログラムが大きく進展

### トランスレーショナルメディシン/ 臨床開発における進捗

2

キャッシュフローを  
創出する重要な  
提携



GLP-1作動薬の良好なフェーズ1臨床結果の発表  
2022年下期にフェーズ2b試験開始、10百万ドルのマイルストーンを受領



M4作動薬の新薬臨床試験開始申請をFDAが受理。2022年下期に  
フェーズ2試験開始、30百万ドルのマイルストーンを受領



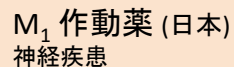
mGlu<sub>5</sub> NAMがフェーズ1試験のFDA承認を取得し、米国国立衛生研究所  
(NIDA)から5.3百万ドルの助成金を獲得

3

研究開発体制の  
転換



EP4拮抗薬に関する新規提携で、がんへの臨床試験を効率化



期初の目標通り、新たに1件の前臨床候補化合物を特定



研究開発体制の転換と成長の加速、およびトランスレーショナルメディシン  
機能の強化のための戦略的提携

## 4

# 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

# プラットフォームの進化と新規提携

世界有数の製薬企業が、複雑なGPCR解析に当社プラットフォームを採用



基盤技術

StaR®  
(受容体の安定化)

SBDD  
(構造ベース創薬)

+

+

新技術で増強

クライオ電子顕微鏡

DEL スクリーニング  
(DNA エンコードライブラリ)

プロテインバインダー  
ツールキット

ケモゲノミックライブラ  
リー・スクリーニング

”難しいターゲットをより早く” “より良い化合物をより早く”

複数ターゲットを対象とした創薬提携

潜在的マイルストーン  
総額<sup>1</sup>

Pfizer

18億ドル

Genentech  
A Member of the Roche Group

10億ドル

Takeda

12億ドル

abbvie

16億ドル

Lilly

7.3億ドル

<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、売上高に対し、1桁中盤から10%台半ばまでの段階的なロイヤリティを受領する権利を有します。

# 技術提携の位置づけ

他社との補完的な提携により、創薬のチャンスを拡大



標的GPCRの発掘

verily ✓  
KALLYOPE ✓  
Inveni AI  
Innovate with Intelligence

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	ケモゲノミックライブラリー・スクリーニング

治療薬候補の創出

PHARMENABLE metrion biosciences  
Captor Therapeutics® PeptiDream sanofi

✓ 2022年以降の進捗

# 臨床段階の提携パイプライン(ムスカリン作動薬)

統合失調症とその他の神経疾患に対する、新規ムスカリン受容体作動薬の開発

2022年にフェーズ2試験開始

## Neurocrine Biosciences Advancing Muscarinic Portfolio

Clinical studies, include:

- **Initiated Phase 2 placebo-controlled study** of NBI-1117568\*, a selective M4 agonist, as a potential treatment for schizophrenia
  - ✓ 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
- **Initiating Phase 1 studies in 2023 of:**
  - ❑ NBI-1117570, a dual M1 / M4 agonist
  - ❑ A selective M1 agonist



\*In-licensed from Sosei Heptares. NBI-1117568 is investigational and not approved in any country

これまでに契約一時金100百万ドル、フェーズ2試験開始時に30百万ドル受領

研究開発資金と、最大26億ドルの開発、申請・承認および販売マイルストーン、さらに売上高に対して、一桁後半から10%台半ばの段階的ロイヤリティを受領する権利を有する

日本での全ての適応症に対するM1受容体作動薬の権利を保持し、ニューロクライン社は共同開発および共同販売のオプション権を保有する

# 臨床段階の提携パイプライン(糖尿病/肥満症に対するGLP-1作動薬)

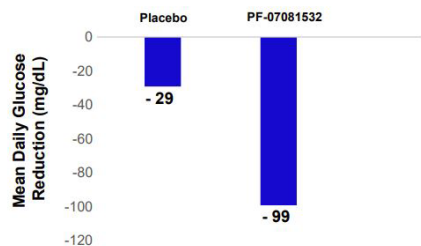
他の経口治療薬よりも有効性、忍容性、投与方法において優位なポジション

2022年にフェーズ2b試験開始

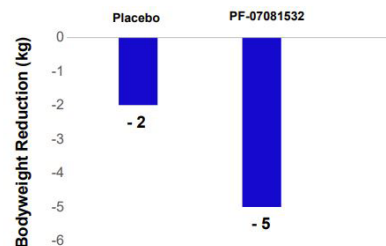
## PF-07081532: Potential Best-In-Class Once-Daily Oral GLP-1 Profile

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>



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



- 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



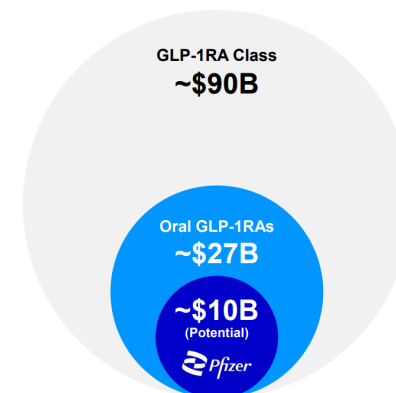
Second Quarter 2022 Earnings

<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

27

## Danuglipron/PF-07081532 Commercial Potential

Opportunity to Potentially Contribute \$10B+ in Peak Year Sales



\$25B GLP-1 market currently growing at +30% per year, projected to reach ~\$90B by 2030

Orals projected to capture ~30% of GLP-1 market by 2032 due to strong patient preference  
>60% of patients prefer BID oral vs. QW injections

We believe Pfizer's oral GLP-1s are well-positioned to compete on efficacy, tolerability and simplicity of administration vs. other oral therapies

BID = twice a day; QW = once a week; Sources: T2D and Obesity Market Forecast Assumptions, 2021, 2022; Pfizer market research 2021, 2022; FT Nov '22, Guggenheim Mar '22, Bernstein Jun '22  
Note: Preliminary, subject to change, and subject to, among other risks, assumptions and uncertainties, clinical trial, regulatory and commercial success and availability of supply



Near-Term Launches + High-Value Pipeline Day | Oral GLP-1RA - Commercial Potential





91

患者さまの強いニーズにより、2032年までに経口剤はGLP-1市場全体の30%を占めると予想される。60%以上の患者さまが、隔週投与の注射剤よりも1日2回の経口剤を選択

GLP-1の市場は現在250億ドル。今後、年率30%超で成長し、2030年には900億ドルに達すると予測される

# 臨床開始予定の自社開発品（今後12カ月）

英国王立がん研究基金（CRUK）との提携を含め、優先プログラムを早期臨床試験に進める

疾患とターゲット	 固形がんにおける がん免疫療法	 統合失調症 および精神疾患	 炎症性腸疾患
	EP4 拮抗薬	GPR52 作動薬	EP4 作動薬
特徴	<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>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>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年下期



# EP4 拮抗薬 (HTL0039732)

CRUKとの提携により、有望ながん治療薬の臨床試験を推進

**最良の研究環境** — 世界トップクラスの研究者と臨床医による強力な連携

**世界最高水準のインフラ** — 英国内20カ所の医療施設で実施される大規模な臨床試験

**コストとリスクの分散** — CRUKが統括し管理運営を行い、資金とリスクを共有する共同開発プロジェクト

**がん治療薬開発におけるWin-Winの関係** — 当社グループは臨床試験結果および知的財産に対する権利を有し、CRUKは治療薬開発が成功した場合に収益の一部を受領する権利を有する



がんは非常に複雑な開発領域であり、当社グループは、世界有数の企業と共同でこれまで6品目の登録医薬品を創製した実績のあるCRUKと共同研究を実施



5

## 2023年度以降の目標

代表執行役社長CEO クリストファー・カーギル

# 2022年の振り返り

内部成長と戦略的成長の進展で、中長期の成長を推進

## 2022年期初目標

## 結果



### 内部成長

1

1つ以上の価値の高い提携/共同投資の実行



abbvie *Lilly*

2

1つ以上の前臨床候補品の創出



M<sub>1</sub> 作動薬(日本)について、  
臨床化合物を特定

3

研究開発の生産性のさらなる強化



 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



円安影響もあり、適切な対象を見出せず、探索を継続

2

シナジーのある新規テクノロジーに関する提携/投資



 verily  UNIVERSITY OF OXFORD  
 KALLYOPE  KU LEUVEN

3

後期臨床開発品の日本市場への導入および商業化



未完了であり、積極的に推進中

# 2023年の優先目標

4つの戦略目標に注力し、引き続き将来の成長を促進

2023年の目標

1  
世界をリードする  
創薬

2  
キャッシュフロー  
を創出する  
重要な提携

3  
研究開発体制の  
転換

4  
日本事業の確立

1 プラットフォームの生産性強化に向けた投資を実施

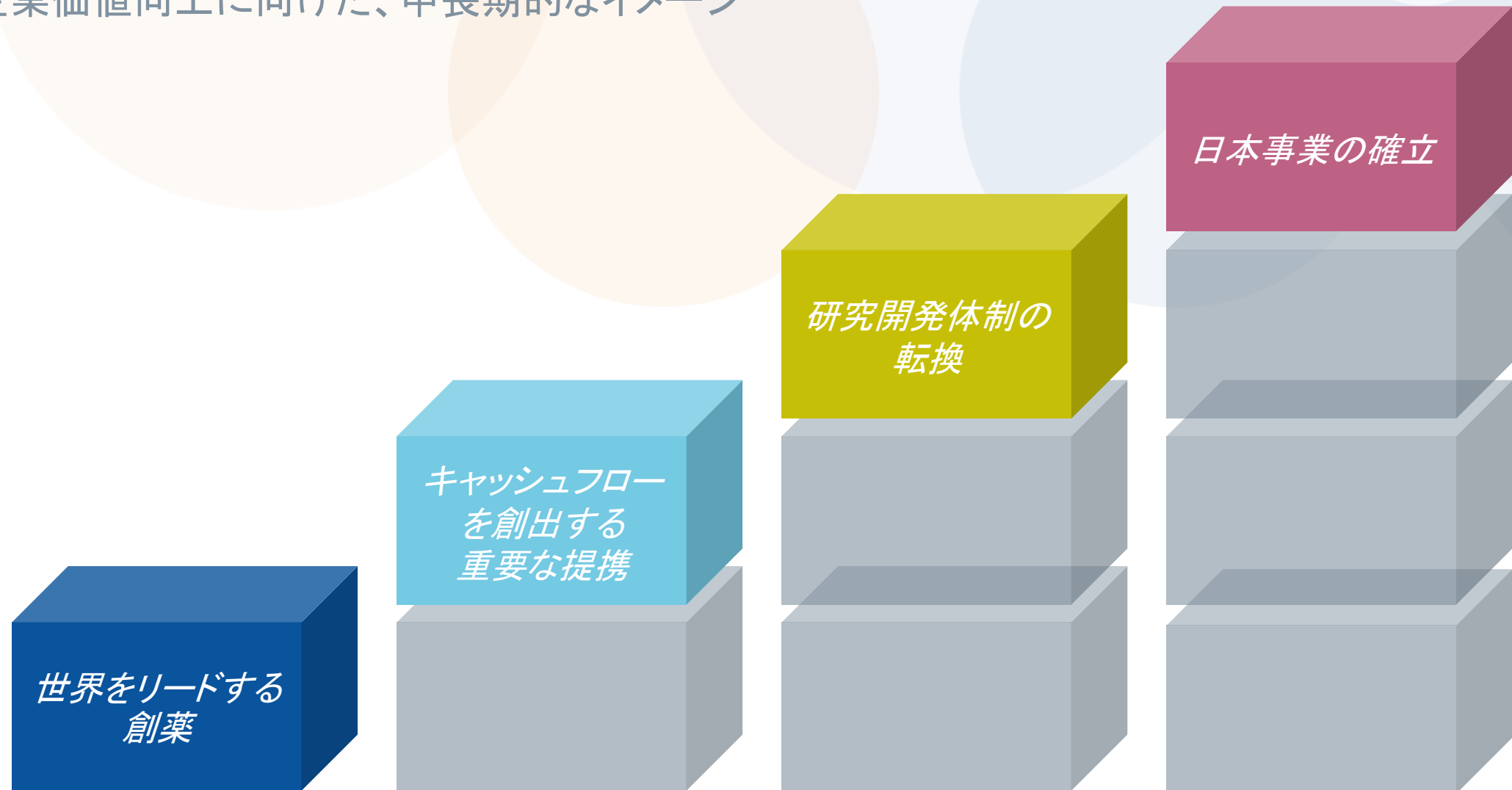
2 1つ以上の価値の高い提携を行い、既存の提携も前進させる

3 2つ以上の自社開発プログラムの臨床試験を開始する

4 日本市場に向けたステップを明確化する(後期開発品の導入/自社品の開発)

# 4つの戦略目標が成功のドライバー

企業価値向上に向けた、中長期的なイメージ



# 2030年に向けたビジョン



パートナーとの提携による新規医薬品の創出およびグローバルでの上市

当初導入品、その後自社品による日本での商業化ビジネスの構築

有望なプログラムからなる広範で持続性あるパイプラインの構築

売上、キャッシュフローおよび利益の急速な拡大

日本発のリーディングバイオ医薬品企業として革新的な医薬品を患者さまに届ける


7

補足資料



## 2022年以降の主な進捗③

投資の最適化を行うため、一部プログラムの位置付けを変更/優先度を引き下げ

### 位置づけ・優先度のアップデート

CGRP 拮抗薬  
Neurology 

提携先の戦略的な理由により、探索段階に変更

OX2 ag.  
Narcolepsy (Intranasal)   


提携先の戦略的な理由により、経口化合物(現在は探索段階)に注力する

H4 ant.  
Atopic Dermatitis

戦略的な理由により、新たな適応症が見つかるまでの間、優先度を引き下げる

A2a ant.  
mCRPC 

現在、返還の機会につき検証中。活発な臨床開発は現状では行われていない



# 「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)

	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

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

# 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	23億ドル (2022)	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	1,789億ドル (2022)	210億ドル (2022/Keytruda)	A2a 拮抗薬、EP4 拮抗薬、抗CXCR4 抗体
	炎症性腸疾患	約1,000万人	235億ドル (2022)	75億ドル (2022/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	81億ドル <sup>3</sup> (2022)	70億ドル (2022/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)	88億ドル (2022/Ozempic)	GLP1作動薬
	拒食症	約1000万人	-	-	MC4 拮抗薬
合計			約2,990億ドル/年	約560億ドル/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

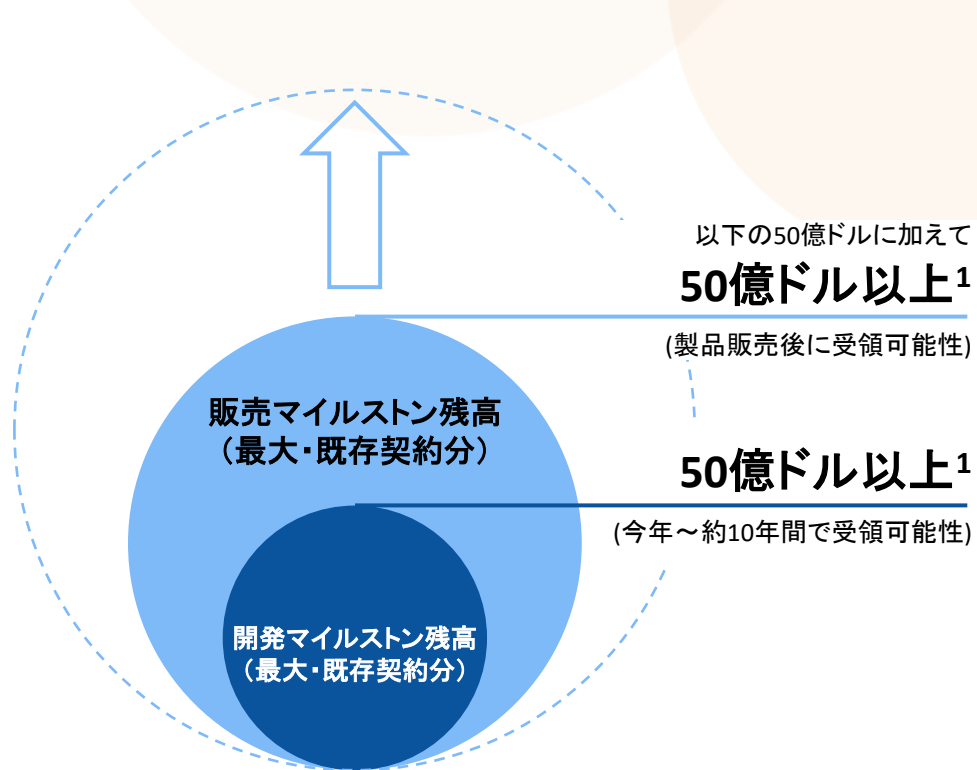
出典(ピーク売上高): EvaluatePharmaの疾患別売上高と個別製品のうち当該疾患分の売上高を記載(2022/6/30時点) <sup>2</sup>当社グループは特定疾患の市場の中の一つのセグメントを対象とする可能性

<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

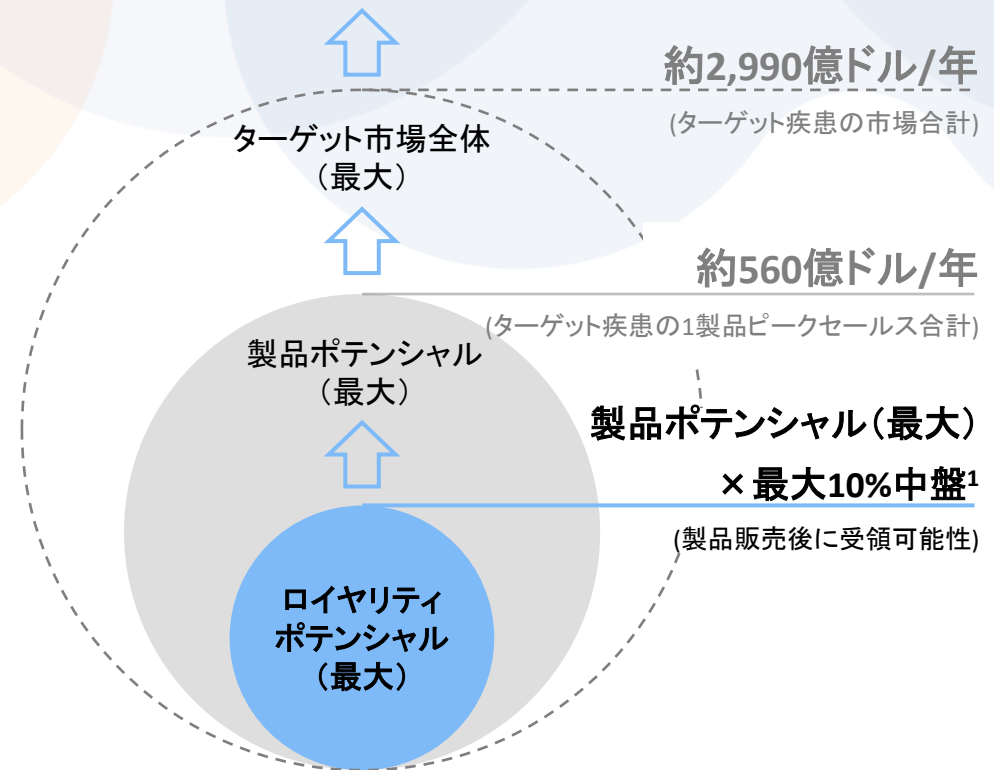
# 既存ライセンス契約のポテンシャル

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

# 提携済パイプライン①

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1相	第2相	第3相	申請	販売
提携											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティプロ®	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	■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117568	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	■	■	■	■	■	■	■
NBI-1117570	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	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(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/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・神経疾患	abbvie	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子	糖尿病・代謝性疾患	Lilly	■	■	■	■	■	■	■

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。<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

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1相	第2相	第3相	申請	販売
共同開発											
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)	イオンチャンネル創薬	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)	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	■						
共同出資											
TMP301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害	TEMPERO BIO	■						
(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

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	オリジネーター	基礎	前臨床	第1相	第2相	第3相	申請	販売
<b>自社開発品</b>											
HTL0039732	EP4 拮抗薬	低分子	がん免疫	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	GPR52 作動薬	低分子	がん免疫	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	EP4 作動薬	低分子	炎症性腸疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	ムスカリンM1作動薬(日本)	低分子	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示) <sup>1</sup>	H4 拮抗薬	低分子	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	Not disclosed	低分子/生物製剤	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	Not disclosed	低分子/生物製剤	消化器・炎症性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	Not disclosed	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>											
HTL'310	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	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	■						
(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	■						

<sup>1</sup> 戦略変更に伴い、次の適応症が見つかるまでの間、優先順位を下げました。

# 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されている
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

The Steinmetz Building

Granta Park, Cambridge

CB21 6DG

United Kingdom

North West House

119 Marylebone Road

London NW1 5PU

United Kingdom