

2025年度(2026年3月期)第1四半期決算(IFRS)補足資料

—目次—

I.	連結業績ハイライト	1
II.	連結損益計算書	3
III.	セグメント情報	4
IV.	売上の状況	5
V.	連結財政状態計算書	7
VI.	四半期業績の推移	8
VII.	主要な子会社等の状況	9
VIII.	開発パイプライン表	10
IX.	主な開発品のプロフィール	11

2025年7月31日

住友ファーマ株式会社

- ・ 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います。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（開発中のものを含む）に関する情報が含まれていますが、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。
- ・ 本資料の数字は四捨五入で表示しています。四捨五入のため、合計数字に差異が生じる場合があります。

## I. 連結業績ハイライト

1. 連結損益計算書(コアベース)	(億円)					
	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減率%	2024年度 実績	2025年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	907	1,080	19.1	3,988	3,550	△ 11.0
売上原価 *1	349	441	26.2	1,532	1,460	△ 4.7
売上総利益	557	639	14.7	2,456	2,090	△ 14.9
販売費及び一般管理費 *1	438	354	△ 19.2	1,677	1,535	△ 8.5
研究開発費 *1	128	81	△ 36.9	485	440	△ 9.3
その他(コア内) *2	△ 0	△ 1		137	445	
コア営業利益(△は損失)	△ 9	204	—	432	560	29.8
調整項目(△:損) *3	△ 22	0		△ 143	△ 20	
営業利益(△は損失)	△ 31	204	—	288	540	87.5
親会社の所有者に帰属する 四半期(当期)利益	159	112	△ 29.7	236	400	69.2
基本的1株当たり当期利益(円)	40.11	28.21		59.49	100.68	
親会社所有者帰属持分当期利益率(ROE)				14.5%	21.1%	
投下資本利益率(ROIC)				9.4%	11.8%	

2. 連結損益計算書(フルベース)	(億円)			
	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減率%	
売上収益	907	1,080	19.1	
売上原価	349	441	26.2	
売上総利益	557	639	14.7	
販売費及び一般管理費	454	357	△ 21.4	
研究開発費	131	82	△ 37.7	
その他の収益・費用等	△ 3	3		
営業利益(△は損失)	△ 31	204	—	
金融収益・費用	203	△ 85		
税引前四半期利益	172	119	△ 30.6	
法人所得税	13	7		
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	159	112	△ 29.7	

\*1 : 調整項目を除く  
 \*2 : 事業譲渡損益、持分法による損益等  
 \*3 : 減損損失、事業構造改善費用、条件付対価公正  
 価値の変動額等

3. 連結キャッシュ・フロー計算書	(億円)	
	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 251	△ 2
投資活動によるキャッシュ・フロー	1,021	△ 43
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 292	32
現金及び現金同等物の期末残高	784	205

4. 為替換算レート	期末日レート		平均レート		2025 年度 想定レート	為替感応度(2025年度) (1円円安の影響)	
	2025年 3月末	2025年 6月末	2024年度 4-6月	2025年度 4-6月		売上収益 (億円)	コア営業 利益(億円)
円/USD	149.53	144.81	155.86	144.60	145.00	17	2
円/元	20.59	20.20	21.48	19.99	20.00	6	0

## 5. 連結2Q累計予想(コアベース)

(億円)

	2025年度 2Q累計予想	2025年度 1Q実績	進捗率%
売上収益	2,070	1,080	52.2
売上原価	815	441	54.1
売上総利益	1,255	639	50.9
販売費及び一般管理費	780	354	45.4
研究開発費	220	81	36.8
その他(コア内)	445	△ 1	
コア営業利益	700	204	29.1
営業利益	690	204	29.6
親会社の所有者に帰属する 中間(四半期)利益	560	112	20.0

## Ⅱ. 連結損益計算書

## 1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)							
	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減額	増減率%	増減 うち為替		
売上収益	907	1,080	173	19.1	日本	△ 38	
海外売上	657	869	212	32.2	北米	207	△ 56
海外売上比率	72.5%	80.5%			アジア	4	△ 9
売上原価	349	441	92	26.2			
売上原価率	38.5%	40.8%					
売上総利益	557	639	82	14.7	セグメント別増減		
販売費及び一般管理費	438	354	△ 84	△ 19.2	日本		
人件費	192	171	△ 21	△ 10.8	人件費	△ 5	△ 15
販売促進費・広告宣伝費	72	45	△ 27	△ 37.2	販売促進費・ 広告宣伝費	△ 7	△ 20
減価償却費	55	41	△ 14	△ 25.1	減価償却費	△ 3	△ 10
その他	119	96	△ 23	△ 19.2	その他	△ 9	△ 13
研究開発費	128	81	△ 47	△ 36.9	アジア		△ 1
研究開発費売上収益比率	14.1%	7.5%					
その他(コア内)	△ 0	△ 1	△ 0				
コア営業利益(△は損失)	△ 9	204	213	—			
調整項目 (△:損)	△ 22	0	22		← 前期: 北米における事業構造改善費用 △17		
営業利益(△は損失)	△ 31	204	235	—			
金融収益	223	6	△ 217				
金融費用	20	91	70				
税引前四半期利益	172	119	△ 53	—			
法人所得税	13	7	△ 5				
親会社の所有者に帰属する 四半期利益	159	112	△ 47	—			

## 2. コア営業利益への調整項目

(億円)						
2025年度1Q実績	フルベース	コアベース	調整額	主な調整項目		
売上収益	1,080	1,080	—			
売上原価	441	441	—			
売上総利益	639	639	—			
販売費及び一般管理費	357	354	△ 3	北米における事業構造改善費用 △1 北米における事業所閉鎖費用等 △1		
研究開発費	82	81	△ 1	北米における事業構造改善費用 △1		
その他の収益・費用等	3	△ 0	△ 4	資産売却益 +6、持分法による投資損益 △6		
営業利益	204	204	△ 0			

## Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2025年度1Q実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	232	726	123	1,080
売上原価	120	298	23	441
売上総利益	112	427	100	639
販売費及び一般管理費	73	253	28	354
<b>コアセグメント利益</b>	<b>38</b>	<b>175</b>	<b>72</b>	<b>285</b>
研究開発費 *1				81
その他(コア内) *2				△ 1
<b>コア営業利益</b>				<b>204</b>

(億円)

2024年度1Q実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	270	518	119	907
売上原価	132	185	32	349
売上総利益	138	333	87	557
販売費及び一般管理費	97	311	30	438
<b>コアセグメント利益</b>	<b>40</b>	<b>21</b>	<b>57</b>	<b>119</b>
研究開発費 *1				128
その他(コア内) *2				△ 0
<b>コア営業利益(△は損失)</b>				<b>△ 9</b>

(億円)

2025年度予想	日本	北米	アジア	合計
売上収益	857	2,482	211	3,550
売上原価	460	921	79	1,460
売上総利益	397	1,561	132	2,090
販売費及び一般管理費	322	1,158	55	1,535
<b>コアセグメント利益</b>	<b>75</b>	<b>403</b>	<b>77</b>	<b>555</b>
研究開発費 *1				440
その他(コア内) *2				445
<b>コア営業利益</b>				<b>560</b>

\*1 研究開発費は、グローバルに管理しているため各セグメントに配分していません。

\*2 事業譲渡損益、持分法による損益等

## IV. 売上の状況

## 1. セグメント別売上収益

(億円)

地域	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減額	増減率%	2025年度 予想	進捗率%
日本	270	232	△ 38	△ 14.1	857	27.0
北米	518	726	207	40.0	2,482	29.2
アジア	119	123	4	3.4	211	58.2

## 2. 主要製品の売上収益①

(仕切価ベース、億円)

品目 〔薬効〕	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減額	増減率%	2025年度 予想	進捗率%
<b>日本</b>						
<b>プロモーション品</b>						
ラツーダ 〔非定型抗精神病薬〕	34	35	1	3.1	135	25.7
ツイミーグ 〔2型糖尿病治療剤〕 '21.9～	17	24	7	40.6	112	21.8
メトグルコ 〔2型糖尿病治療剤〕	19	19	△ 1	△ 3.0	76	24.4
エクア・エクメット 〔2型糖尿病治療剤〕	74	42	△ 32	△ 42.9	70	60.1
ロナセンテープ 〔非定型抗精神病薬〕	11	12	1	10.4	52	23.9
<b>その他品目</b>						
オーソライズドジェネリック品	28	31	3	9.2	116	26.5
輸出、一時金収入、その他	87	69	△ 18	△ 20.5	296	23.3

## 2. 主要製品の売上収益②

品目 〔薬効〕	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減額	増減率%	(億円)	
					2025年度 予想	進捗率%
北米						
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤]	168	327	160	95.3	1,030	31.8
'21.1～ マイフェンブリー [子宮筋腫・子宮内膜症治療剤]	30	29	△ 2	△ 5.2	123	23.2
'21.6～/'22.8～ ジェムテサ [過活動膀胱治療剤]	121	213	91	75.3	829	25.7
'21.4～ リサイミック [小児先天性無胸腺症向け培養ヒト胸腺組織]	17	8	△ 9	△ 52.2	65	12.5
'22.3～ アプティオム [抗てんかん剤]	102	71	△ 31	△ 30.2	48	147.7
輸出、一時金収入、その他	80	78	△ 3	△ 3.4	387	20.1

## (参考) 北米 現地通貨ベース

品目	2024年度 1Q実績	2025年度 1Q実績	増減額	増減率%	(百万ドル)	
					2025年度 予想	進捗率%
オルゴビクス	108	<b>226</b>	119	110.5	710	31.9
マイフェンブリー	19	<b>20</b>	0	2.2	85	23.2
ジェムテサ	78	<b>147</b>	69	89.0	572	25.7
リサイミック	11	<b>6</b>	△ 5	△ 48.5	45	12.5
アプティオム	65	<b>49</b>	△ 16	△ 24.8	33	148.6

## V. 連結財政状態計算書

(億円)			
科 目	2025年 3月末	2025年 6月末	対前年度末 増減額
<b>資産</b>	<b>7,426</b>	<b>7,333</b>	<b>△ 93</b>
(非流動資産)	<b>4,894</b>	<b>4,766</b>	<b>△ 128</b>
有形固定資産	466	461	△ 5
のれん	1,974	1,912	△ 62 ← 為替影響
無形資産	1,725	1,647	△ 78 ← 為替影響
特許権・販売権	1,677	1,601	△ 76
仕掛研究開発	5	5	0
その他	44	42	△ 2
その他の金融資産	441	444	2
その他の非流動資産	282	297	15
繰延税金資産	5	5	△ 0
(流動資産)	<b>2,532</b>	<b>2,567</b>	<b>36</b>
棚卸資産	942	898	△ 45
営業債権及びその他の債権	748	834	85
その他の金融資産	168	159	△ 10
その他の流動資産	138	143	5
現金及び現金同等物	231	205	△ 27
売却目的で保有する資産	304	330	26
<b>負債</b>	<b>5,731</b>	<b>5,571</b>	<b>△ 160</b>
(非流動負債)	<b>3,325</b>	<b>3,254</b>	<b>△ 71</b>
社債及び借入金	2,590	2,591	1
その他の金融負債	158	162	4
退職給付に係る負債	65	65	△ 1
その他の非流動負債	246	178	△ 69
繰延税金負債	266	259	△ 7
(流動負債)	<b>2,406</b>	<b>2,317</b>	<b>△ 89</b>
借入金	464	502	37
営業債務及びその他の債務	385	393	8
その他の金融負債	329	308	△ 21
未払法人所得税	16	10	△ 6
引当金	720	718	△ 2
その他の流動負債	457	355	△ 101
売却目的で保有する資産に 直接関連する負債	35	30	△ 5
<b>資本</b>	<b>1,695</b>	<b>1,762</b>	<b>68</b>
資本金	224	224	—
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	468	579	111
その他の資本の構成要素	975	939	△ 36
売却目的で保有する資産に 関連するその他の包括利益	35	27	△ 7
親会社の所有者に帰属する持分	<b>1,695</b>	<b>1,762</b>	<b>68</b>

主な特許権	25/3	25/6
オルコビクス(レルゴリクス)	638	605
マイフェンブリー(レルゴリクス)	97	92
シエムテサ(ビヘクロン)	922	886



## VI. 四半期業績の推移

## 1. 連結損益計算書(コアベース)

	2024年度				(億円)
	1Q	2Q	3Q	4Q	2025年度 1Q
売上収益	907	901	1,124	1,056	1,080
売上原価	349	373	413	397	441
売上総利益	557	528	712	660	639
販売費及び一般管理費	438	396	410	433	354
研究開発費	128	123	102	131	81
その他(コア内)	△ 0	△ 0	17	121	△ 1
コア営業利益(△は損失)	△ 9	9	216	216	204
調整項目(△:損)	△ 22	△ 59	△ 2	△ 61	0
営業利益(△は損失)	△ 31	△ 51	214	156	204
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	159	△ 482	534	24	112

## 2. 主要製品の売上収益

	2024年度				2025年度
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q
(仕切価ベース、億円)					
<日本>					
ラツーダ	34	33	36	29	35
ツイミーグ	17	18	21	19	24
メトグルコ	19	19	19	17	19
エクア・エクメット	74	68	68	40	42
ロナセンテープ	11	12	13	10	12
オーソライズドジェネリック品	28	27	32	27	31
輸出、一時金収入、その他	87	82	67	72	69

					(百万ドル)
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q
<北米>					
オルゴビクス	108	125	146	166	226
マイフェンブリー	19	20	26	18	20
ジェムテサ	78	87	118	148	147
リサイミック	11	8	14	11	6
アプティオム	65	65	69	59	49
輸出、一時金収入、その他	52	43	120	73	54

## Ⅶ. 主要な子会社等の状況(2025年6月30日現在)

国内	設立年月	持株比率	主な事業内容
住友ファーマプロモ株式会社	1998/ 6	100%	医療用医薬品等の製造、販売
株式会社RACTHERA *1	2024/11	33.4%	再生医療等製品、特定細胞加工物および再生・細胞医薬関連製品の研究、開発、製造、販売および輸出入
S-RACMO株式会社 *1	2020/9	33.4%	再生・細胞医薬分野の製法開発、製造などの受託
海外	設立年月	持株比率	主な事業内容
Sumitomo Pharma America, Inc.	1984/ 1	100%	医療用医薬品の製造、販売
Sumitomo Pharma Switzerland GmbH	2016/ 8	100%	医療用医薬品の製造、販売
住友制薬投資(中国)有限公司	2022/ 6	100%	持株会社、現地法人の管理統括等
住友制薬(蘇州)有限公司	2003/12	100%	医療用医薬品の製造、販売

\*1 関連会社

## Ⅷ. 開発パイプライン表(2025 年 7 月 31 日現在)

- この表には当社グループが日本・米国・中国・欧州において承認取得を目指す適応症に関する主な臨床試験を掲載しています。
- 同じ地域・適応症で複数の試験を実施している場合は、最も進んでいる開発段階の試験のみを記載しています。
- 開発段階の変更基準は、治験届受理日としています。

## 1. 精神神経領域

製品名／一般名／コード名		予定適応症	地域	開発段階
低分子	ラツーダ／ ルラシドン塩酸塩	(新用法:小児)統合失調症	日本	フェーズ 3
	DSP-0038	アルツハイマー病に伴う精神病症状	米国	フェーズ 1
	DSP-0187	ナルコレプシー	日本	フェーズ 1
	DSP-3456	治療抵抗性うつ	米国	フェーズ 1
	DSP-0378	進行性ミオクロヌスてんかん、発達性てんかん性脳症	日本	フェーズ 1
	DSP-2342	未定	米国	フェーズ 1
再生・細胞 医薬 (株式会社 RACTHE RA と連 携)	CT1-DAP001/DSP-1083 (他家 iPS 細胞由来ドーパミン神経前駆細胞)	パーキンソン病	日本	申請準備中
			米国	フェーズ 1/2 (医師主導治験)
	HLCR011 (他家 iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞)	網膜色素上皮裂孔	日本	フェーズ 1/2 (企業治験)
	DSP-3077 (他家 iPS 細胞由来網膜シート)	網膜色素変性	米国	フェーズ 1/2

## 2. がん領域

製品名／一般名／コード名	予定適応症	地域	開発段階
enzomenib／DSP-5336	急性白血病	米国・日本	フェーズ 2
nuvisertib／TP-3654	骨髄線維症	米国・日本	フェーズ 1/2
DSP-0390	膠芽腫	米国・日本	フェーズ 1
SMP-3124	固形がん	米国・日本	フェーズ 1/2

## 3. その他領域

製品名／一般名／コード名	予定適応症	地域	開発段階
KSP-1007	複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎	米国・日本・中国	フェーズ 1

fH1/DSP-0546LP	インフルエンザ	欧州	フェーズ 1
----------------	---------	----	--------

## 【前回 2025 年 5 月決算発表時点からの主な変更点】

製品名／一般名／コード名	予定適応症	地域	開発段階	変更内容
KSP-1007	複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎	米国・ 日本・ 中国	フェーズ 1	地域(中国)を追加

## Ⅸ. 主な開発品のプロフィール(2025 年 7 月 31 日現在)

## 1. 精神神経領域

## 【低分子】

DSP-0038 起源: 自社(Exscientia 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: アルツハイマー病に伴う精神病症状 フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、Exscientia 社の AI 技術を用いて当社が創製した新規化合物であり、セロトニン 5-HT<sub>2A</sub> 受容体アンタゴニスト活性および 5-HT<sub>1A</sub> 受容体アゴニスト活性を有する。5-HT<sub>2A</sub> 受容体アンタゴニストおよび 5-HT<sub>1A</sub> 受容体アゴニスト活性を併せ持つことで強い抗精神病作用を有し、加えて焦燥・攻撃性・不安・うつ症状などのアルツハイマー病を含む認知症の種々の行動・心理症状にも幅広く効くことが期待される。また、本剤はドパミン D<sub>2</sub> 受容体拮抗作用がないことから、既存の抗精神病薬に比べ高い安全性・忍容性が期待できる。

DSP-0187 起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: ナルコレプシー フェーズ 1(日本)
- ・ 本剤は、選択的オレキシン 2 受容体作動薬である。オレキシンの欠乏によって生じるナルコレプシーの日中過眠や情動脱力発作を中心とした各症状の改善効果が期待される。また、ナルコレプシー以外の過眠疾患への適応も期待される。2022 年 4 月、日本・中国・その他アジアの一部を除くテリトリーでの独占的開発・販売権を Jazz 社に導出した。

DSP-3456 起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 治療抵抗性うつ フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、代謝型グルタミン酸受容体 2/3 ネガティブアロステリックモジュレーター(mGluR2/3 NAM)である。ケタミンが惹起する副作用(精神病様症状、認知機能障害)を回避しつつ、グルタミン酸の遊離促進による前頭前皮質の選択的な活性化を介したケタミン様の抗うつ作用を示すことが期待される。

DSP-0378 起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 進行性ミオクローヌスてんかん、発達性てんかん性脳症 フェーズ 1(日本)
- ・ 本剤は、γ-アミノ酪酸(GABA) A 受容体ポジティブアロステリックモジュレーターである。シナプス領域およびシナプス外領域に発現する様々なサブタイプの GABA<sub>A</sub> 受容体に対し、ベンゾジアゼピン系薬剤および神経ステロイドなど、既知の GABA<sub>A</sub> 受容体賦活化作用を持つ化合物とは異なる様式で作用する。進行性ミオクローヌスてんかんや発達性てんかん性脳症を含む、広範なてんかんに対する治療薬となることが期待される。

DSP-2342 起源: 自社(Exscientia 社との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: フェーズ 1(米国)
- ・ 本剤は、Exscientia 社の AI 技術を用いて当社が創製した新規化合物であり、セロトニン 5-HT<sub>2A</sub> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体へのアンタゴニスト活性を有する。5-HT<sub>2A</sub> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体へのアンタゴニスト活性を併せ持つことで精神病症状や不安・うつ症状など幅広く精神症状に有効性を示すことが期待される。ま

た、本剤は 5-HT<sub>2A</sub> および 5-HT<sub>7</sub> 受容体への選択性を高めていることから、高い安全性・忍容性が期待できる。

#### 【再生・細胞医薬(株式会社 RACTHERA と連携)】

株式会社 RACTHERA と当社は、産学の連携先と、パーキンソン病、網膜色素上皮裂孔・加齢黄斑変性、網膜色素変性、脊髄損傷等を対象に、他家(健康人)iPS 細胞を用いた他家 iPS 細胞由来細胞製品を開発している。

#### CT1-DAP001/DSP-1083(他家 iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞)

- ・ 連携先: 京都大学 iPS 細胞研究所、カリフォルニア大学サンディエゴ校
- ・ 開発段階:
  - パーキンソン病 申請準備中(日本)
  - パーキンソン病 フェーズ 1/2(医師主導治験\*)(米国) \*実施者: カリフォルニア大学サンディエゴ校
  - パーキンソン病 フェーズ 1/2(企業治験)(米国)
- ・ 2017 年 2 月にパーキンソン病の適応で厚生労働省から再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定を受けている。

#### HLCR011(他家 iPS 細胞由来網膜色素上皮細胞)

- ・ 連携先: ヘリオス
- ・ 開発段階: 網膜色素上皮裂孔 フェーズ 1/2(日本)

#### DSP-3077(他家 iPS 細胞由来網膜シート)

- ・ 連携先: マサチューセッツ眼科耳鼻科病院(ハーバード大学(Harvard Medical School)の Teaching Hospital)
- ・ 開発段階: 網膜色素変性、フェーズ 1/2(米国)

## 2. がん領域

#### enzomenib/DSP-5336

起源: 自社(京都大学との共同研究)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 急性白血病 フェーズ 2(米国・日本)
- ・ 本剤はメニンタンパク質と KMT2A(lysine methyltransferase 2A)タンパク質との結合を阻害する低分子経口剤である。KMT2A 遺伝子の再構成や NPM1 遺伝子の変異を有する急性骨髄性白血病では、メニンと KMT2A の結合による、造血幹細胞の維持に必要となる遺伝子の異常発現が認められ、急性骨髄性白血病の発症・維持に関連しているといわれている。本剤は、非臨床試験において、メニンと KMT2A の結合を阻害することにより、それらの遺伝子の発現減少を介した抗腫瘍作用が示されている。本剤は、米国食品医薬品局(FDA)から、2022 年 6 月に急性骨髄性白血病の適応でオーファンドラッグ指定を、2024 年 6 月に KMT2A 遺伝子の再構成または NPM1 遺伝子の変異を有する再発または難治性の急性骨髄性白血病の適応でファストトラック指定を受けている。また、2024 年 9 月に再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成陽性または NPM1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病の適応で厚生労働省から希少疾病用医薬品指定を受けている。

#### nuvisertib/TP-3654

起源: 自社(旧 Tolero 社)、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 骨髄線維症 フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 本剤は、PIM1(proviral integration site for Moloney murine leukemia virus 1)キナーゼ阻害を介して炎症性シグナル経路を抑制する。PIM1 キナーゼは、様々な血液がんおよび固形がんにおいて過剰発現し、がん細胞のアポトーシス回避、腫瘍増殖の促進につながる可能性がある。本剤は、FDA から、骨髄線維症の適応で 2022 年 5 月にオーファンドラッグ指定を、2025 年 6 月にファストトラック指定を受けている。また、2024 年 11 月に骨髄線維症の適応で厚生労働省から希少疾病用医薬品指定を受けている。さらに、2025 年 7 月には欧州医薬品庁(EMA)より骨髄線維症の適応でオーファンドラッグ指定を受けている。

**DSP-0390**

起源: 自社、剤形: 経口剤

- ・ 開発段階: 膠芽腫 フェーズ 1(米国・日本)
- ・ 本剤はコレステロール生合成に関与する小胞体膜タンパク質である EBP (Emopamil Binding Protein) 阻害剤である。EBP は細胞膜構造やシグナル伝達に重要なコレステロール生合成を調節しており、腫瘍の異常増殖に関わっている。EBP の阻害によってコレステロールを枯渇させ、抗腫瘍作用を示すことが期待される。本剤は、2022 年 5 月に脳腫瘍の適応で FDA からオーファンドラッグ指定を受けている。

**SMP-3124**

起源: 自社、剤形: 注射剤(リポソームナノ粒子製剤)

- ・ 開発段階: 固形がん フェーズ 1/2(米国・日本)
- ・ 本剤は CHK1 (Checkpoint kinase 1) 阻害剤をリポソームに封入した注射剤である。CHK1 は DNA 損傷応答によって活性化され、細胞周期を停止し、DNA 修復を誘導するセリン/スレオニンキナーゼである。CHK1 阻害は高い複製ストレスを有するがん細胞に対し更なる DNA 損傷をもたらし、細胞死を誘導する。本剤はリポソームナノ粒子製剤化によって薬剤の体内動態を変化させ、薬効を増強し副作用を低減することが期待される。

**3. その他領域****KSP-1007**

起源: 自社(北里研究所との共同研究)、剤形: 注射剤

開発段階: 複雑性尿路・腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎 フェーズ 1(米国・日本・中国)

- ・ 本剤は、カルバペネム系抗菌薬を分解する細菌由来の酵素である  $\beta$ -ラクタマーゼを広域かつ強力に阻害する作用を有している。本剤は世界的に汎用されているカルバペネム系抗生物質製剤メロペネム水和物(当社の日本での製品名「メロペン」との配合剤とすることにより、カルバペネム耐性菌による感染症に対しても有効な治療選択肢となることが期待されている。本剤は、2022 年 8 月に細菌性の複雑性尿路感染症、複雑性腹腔内感染症、人工呼吸器関連肺炎を含む院内肺炎の適応で FDA から適格感染症治療製品およびファストトラック指定を受けている。

**fH1/DSP-0546LP**

起源: 自社(医薬基盤・健康・栄養研究所との共同研究)、剤形: 注射剤

- ・ 開発段階: インフルエンザ フェーズ 1(欧州)
- ・ 本剤は、幅広いインフルエンザウイルスに対する効果が期待される膜融合型ヘマグルチニン抗原 (fH1) と、免疫応答の量、質および持続性を高める TLR7 アジュバント (DSP-0546LP) を組み合わせた次世代型ワクチンである。従来のインフルエンザワクチンは、ウイルスの抗原変異により効力を失うため、毎年流行株にあったワクチン株の選定・製造・接種が必要であり、新型インフルエンザに迅速に対応することは困難である。本剤は、種類の異なるインフルエンザへの幅広い防御効果が非臨床研究で確認されており、その効果には TLR7 アジュバントの添加が重要であることが示唆されている。本剤は、季節性インフルエンザウイルスだけではなく、パンデミックに発展する可能性のある新型インフルエンザウイルスにも効果を示すことが期待されている。

以 上