

2025年度(2026年3月期)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.	地域別売上総利益	7
VI.	連結財政状態計算書	8
VII.	四半期業績の推移	9
VIII.	主要な子会社等の状況	10
IX.	株式の状況	11
X.	開発パイプライン表	12
XI.	主な開発品のプロフィール	13

2026年5月13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。
- ・医薬品等(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 実績	2025年度 実績	増減率%	2026年度 業績予想	前期比 増減率%
売上収益	3,988	4,533	13.7	5,400	19.1
売上原価 *1	1,532	1,964	28.2	2,450	24.7
売上総利益	2,456	2,569	4.6	2,950	14.8
販売費及び一般管理費 *1	1,677	1,593	△ 5.0	1,550	△ 2.7
研究開発費 *1	485	439	△ 9.4	510	16.0
その他(コア内) *2	137	523		20	
コア営業利益	432	1,059	145.4	910	△ 14.1
調整項目(△:損) *3	△ 143	14		△ 10	
営業利益	288	1,073	272.6	900	△ 16.2
親会社の所有者に帰属する 当期利益	236	1,069	352.2	770	△ 27.9
基本的1株当たり当期利益(円)	59.49	268.99		172.89	
親会社所有者帰属持分当期利益率(ROE)	14.5%	46.3%		20.3%	
投下資本利益率(ROIC)	9.4%	22.8%		15.1%	

2. 連結損益計算書(フルベース)	(億円)			*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
	2024年度 実績	2025年度 実績	増減率%	
売上収益	3,988	4,533	13.7	
売上原価	1,534	1,964	28.0	
売上総利益	2,454	2,569	4.7	
販売費及び一般管理費	1,806	1,626	△ 10.0	
研究開発費	499	440	△ 11.8	
その他の収益・費用等	139	570		
営業利益	288	1,073	272.6	
金融収益・費用	△ 112	△ 70		
税引前当期利益	176	1,003	469.8	
法人所得税	△ 60	△ 65		
親会社の所有者に帰属する 当期利益	236	1,069	352.2	

3. 連結キャッシュ・フロー計算書	(億円)	
	2024年度 実績	2025年度 実績
営業活動によるキャッシュ・フロー	165	717
投資活動によるキャッシュ・フロー	998	225
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 1,088	△ 913
現金及び現金同等物の期末残高	231	443

4. 為替換算レート	期末日レート		平均レート		2026年度 想定レート	為替感応度(2026年度) (1円円安の影響)	
	2025年 3月末	2026年 3月末	2024年度	2025年度		平均	売上収益 (億円)
円/USD	149.53	159.90	152.62	150.67	155.00	28	6
円/元	20.59	20.74	21.11	20.12	-	-	-

(億円)

5. 設備投資の状況・
減価償却費

	2024年度 実績	2025年度 実績	増減額	2026年度 予想	前期比 増減額
設備投資額	121	66	△ 55	80	14
有形固定資産償却費	83	67	△ 16	59	△ 8
無形資産償却費	173	140	△ 33	137	△ 3
うち製品に係る無形資産 (特許権・販売権)償却費	150	124	△ 26	123	△ 1

(注)設備投資額は、有形固定資産とソフトウェアの設備投資額を記載しています。

II. 連結損益計算書

1. 連結損益計算書(コアベース)

					(億円)		
	2024年度実績	2025年度実績	増減額	増減率%			
売上収益	3,988	4,533	545	13.7			
海外売上	3,069	3,699	630	20.5			
海外売上比率	76.9%	81.6%					
売上原価	1,532	1,964	432	28.2			
売上原価率	38.4%	43.3%					
売上総利益	2,456	2,569	112	4.6			
販売費及び一般管理費	1,677	1,593	△ 84	△ 5.0			
人件費	789	769	△ 20	△ 2.6			
販売促進費・広告宣伝費	250	214	△ 36	△ 14.5			
減価償却費	201	165	△ 36	△ 18.1			
その他	437	446	9	2.1			
研究開発費	485	439	△ 45	△ 9.4			
研究開発費売上収益比率	12.2%	9.7%					
その他(コア内)	137	523	386		← 当期: アジア事業の一部譲渡 +490		
コア営業利益	432	1,059	628	145.4			
調整項目 (△:損)	△ 143	14	158		← 前期: 日本における減損損失△55 日本における事業構造改善費用 △59 北米における事業構造改善費用 △29 当期: 北米における減損損失 △21 条件付対価公正価値の変動額 +32		
営業利益	288	1,073	785	272.6			
金融収益	23	32	9				
金融費用	135	102	△ 33				
税引前当期利益	176	1,003	827	469.8			
法人所得税	△ 60	△ 65	△ 5				
親会社の所有者に帰属する当期利益	236	1,069	832	352.2			

2. コア営業利益への調整項目

					(億円)
2025年度実績	フルベース	コアベース	調整額	主な調整項目	
売上収益	4,533	4,533	—		
売上原価	1,964	1,964	—		
売上総利益	2,569	2,569	—		
販売費及び一般管理費	1,626	1,593	△ 32	北米における減損損失 △21	
研究開発費	440	439	△ 0		
その他の収益・費用等	570	523	△ 47	条件付対価の公正価値変動額 △31 北米における減損損失戻入 △11	
営業利益	1,073	1,059	△ 14		

Ⅲ. セグメント情報(コアベース)

(億円)

2025年度実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	924	3,379	230	4,533
売上原価	501	1,374	88	1,964
売上総利益	422	2,005	142	2,569
販売費及び一般管理費	299	1,247	47	1,593
コアセグメント利益	124	757	95	975
研究開発費 *1				439
その他(コア内) *2				523
コア営業利益				1,059

(億円)

2024年度実績	日本	北米	アジア	合計
売上収益	998	2,518	472	3,988
売上原価	518	908	106	1,532
売上総利益	480	1,610	366	2,456
販売費及び一般管理費	366	1,184	127	1,677
コアセグメント利益	114	426	239	779
研究開発費 *1				485
その他(コア内) *2				137
コア営業利益				432

*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 実績	2025年度 実績	増減額	増減率%
日本	998	924	△ 75	△ 7.5
北米	2,518	3,379	861	34.2
アジア	472	230	△ 242	△ 51.2
合計	3,988	4,533	545	13.7

2. 地域別売上収益

(億円)

地域	2025年度 実績	2026年度 予想	増減額	増減率%
日本	834	876	42	5.1
米国	3,218	4,064	846	26.3
その他	481	460	△ 21	△ 4.3
合計	4,533	5,400	867	19.1

3. 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 実績	2025年度 実績	増減額	増減率%	2026年度 予想
日本					
ゼプリオン・ゼプリオンTRI [持続性抗精神病剤] '26.1~	—	32	32	—	171
ラツーダ [非定型抗精神病薬]	132	137	5	4.1	136
ツイミーグ [2型糖尿病治療剤] '21.9~	76	106	30	39.0	119
メトグルコ [2型糖尿病治療剤]	73	74	1	1.3	76
エクア・エクメット [2型糖尿病治療剤]	249	87	△ 162	△ 64.9	—
ロナセンテープ [非定型抗精神病薬]	46	50	4	8.2	44
オーソライズドジェネリック品	114	121	7	5.9	112

3. 主要製品の売上収益②

(億円)

品目 [薬効]	2024年度 実績	2025年度 実績	増減額	増減率%	2026年度 予想
米国					
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤] '21.1～	831	1,550	719	86.6	2,099
マイフェンブリー [子宮筋腫・子宮内膜症治療剤] '21.6～/'22.8～	128	144	16	12.6	154
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤] '21.4～	658	960	302	46.0	1,063
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] '22.3～	68	63	△ 5	△ 7.1	54
アプティオム [抗てんかん剤]	394	149	△ 245	△ 62.1	54

(参考)米国 現地通貨ベース

(百万ドル)

品目	2024年度 実績	2025年度 実績	増減額	増減率%	2026年度 予想
オルゴビクス	544	1,029	484	89.0	1,354
マイフェンブリー	84	96	12	14.1	100
ジェムテサ	431	637	206	47.9	686
リサイミック	45	42	△ 3	△ 6.5	35
アプティオム	258	99	△ 159	△ 61.6	35

V. 地域別売上総利益(コアベース)

(億円)

2026年度予想	日本	米国	その他	合計
売上収益	876	4,064	460	5,400
売上原価	521	1,527	402	2,450
売上総利益	355	2,537	58	2,950

(億円)

2025年度実績	日本	米国	その他	合計
売上収益	834	3,218	481	4,533
売上原価	437	1,232	295	1,964
売上総利益	396	1,987	186	2,569

VI. 連結財政状態計算書

(億円)

科目	2025年 3月末	2026年 3月末	対前年度末 増減額
資産	7,426	8,046	620
(非流動資産)	4,894	5,253	359
有形固定資産	466	442	△ 24
のれん	1,974	2,111	137
無形資産	1,725	1,605	△ 120
特許権・販売権	1,677	1,559	△ 118
仕掛研究開発	5	7	2
その他	44	39	△ 5
その他の金融資産	441	447	6
その他の非流動資産	282	644	362
繰延税金資産	5	4	△ 1
(流動資産)	2,532	2,793	261
棚卸資産	942	854	△ 88
営業債権及びその他の債権	748	1,314	566
その他の金融資産	168	53	△ 115
その他の流動資産	138	128	△ 10
現金及び現金同等物	231	443	212
売却目的で保有する資産	304	—	△ 304
負債	5,731	5,121	△ 610
(非流動負債)	3,325	2,406	△ 919
社債及び借入金	2,590	1,791	△ 799
その他の金融負債	158	166	7
退職給付に係る負債	65	57	△ 9
その他の非流動負債	246	235	△ 12
繰延税金負債	266	158	△ 107
(流動負債)	2,406	2,715	309
借入金	464	381	△ 83
営業債務及びその他の債務	385	567	182
その他の金融負債	329	352	23
未払法人所得税	16	11	△ 5
引当金	720	896	176
その他の流動負債	457	508	51
売却目的で保有する資産に 直接関連する負債	35	—	△ 35
資本	1,695	2,925	1,230
資本金	224	224	—
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	468	1,590	1,122
その他の資本の構成要素	975	1,118	142
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	—	△ 35
親会社の所有者に帰属する持分	1,695	2,925	1,230

主な特許権	25/3	26/3
オルコ [®] ピクス(レルコ [®] リクス)	638	599
マイエンブ [®] リー(レルコ [®] リクス)	97	91
ジ [®] ェムテサ(ビ [®] ヘ [®] クロン)	922	884

← 持分法で会計処理されている投資の増加

← 売上伸長による売掛金の増加等

← 長期借入金の返済

← 無形資産のグループ内譲渡に伴う繰延税金負債取り崩し

← 短期借入金等の返済

← 売上伸長による引当金の増加等

VII. 四半期業績の推移

1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2024年度				2025年度			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
売上収益	907	901	1,124	1,056	1,080	1,191	1,206	1,055
売上原価	349	373	413	397	441	456	554	513
売上総利益	557	528	712	660	639	735	652	543
販売費及び一般管理費	438	396	410	433	354	386	425	429
研究開発費	128	123	102	131	81	94	104	161
その他(コア内)	△ 0	△ 0	17	121	△ 1	501	10	12
コア営業利益(△は損失)	△ 9	9	216	216	204	757	134	△ 35
調整項目(△:損)	△ 22	△ 59	△ 2	△ 61	0	0	3	11
営業利益(△は損失)	△ 31	△ 51	214	156	204	758	136	△ 24
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	877	88	△ 8

2. 主要製品の売上収益

	2024年度				2025年度			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
<日本>	(仕切価ベース、億円)							
ゼプリオン・ゼプリオンTRI	—	—	—	—	—	—	—	32
ラツェダ	34	33	36	29	35	34	38	30
ツイミーグ	17	18	21	19	24	26	29	27
メグルコ	19	19	19	17	19	18	20	17
エクア・エクメット	74	68	68	40	42	33	12	0
ロナセンテープ	11	12	13	10	12	12	14	11
オーソライズドジェネリック品	28	27	32	27	31	30	33	28
輸出、一時金収入、その他	87	82	67	72	69	84	77	86
<北米>	(百万ドル)							
オルゴピクス	108	125	146	166	226	247	304	252
マイフェンブリー	19	20	26	18	20	24	30	22
ジェムテサ	78	87	118	148	147	150	189	151
リサイミック	11	8	14	11	6	17	8	11
アプティオム	65	65	69	59	49	24	11	15
輸出、一時金収入、その他	52	43	120	73	54	150	75	64

Ⅷ. 主要な子会社等の状況(2026年3月31日現在)

国内		設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
住友ファーマプロモ株式会社		1998/ 6	100%	25名	医療用医薬品の製造、販売
丸紅ファーマシューティカルズ株式会社 *1		2025/ 5	40.0%	—	— 医療用医薬品等の製造、販売等
株式会社RACTHERA *1		2024/11	33.4%	—	— 再生医療等製品等の研究開発
S-RACMO株式会社 *1		2020/ 9	33.4%	—	— 再生・細胞医薬分野の製法開発、製造等の受託
海外		設立年月	持株比率	従業員数	主な事業内容
Sumitomo Pharma America, Inc.		1984/ 1	100%	1,225名*2	医療用医薬品の製造および販売

*1 関連会社

*2 従業員数は傘下の連結子会社の人員を含む

参考)従業員数(名)		2024/3/31		2025/3/31		2026/3/31	
連結/個別		4,980	2,908	3,832	1,799	3,123	1,747
MR人数 (概数、コントラクトMR含む)							
日本	マネージャー除く/総数	910	1,000	390	450	460	510
米国	マネージャー除く/総数	430	490	380	430	390	440

IX. 株式の状況(2026年3月31日現在)

1. 発行可能株式総数 1,500,000,000株
2. 発行済株式の総数 397,900,154株 (自己株式611,105株を含む)
3. 所有者別株式数

所有者区分	株主数(名)	株式数(千株)	構成比(%)
金融機関	24	50,998	12.82
金融商品取引業者	61	8,138	2.05
その他の法人	569	216,469	54.40
外国法人等	1,302	56,550	14.21
個人・その他(自己株式を含む)	107,234	65,743	16.52
合計	109,190	397,900	100.00

(注)株式数は千株未満を切り捨てています。

4. 上位10名の株主

株主名	持株数(千株)	持株比率(%)
住友化学株式会社	205,634	51.76
日本マスタートラスト信託銀行株式会社(信託口)	25,038	6.30
株式会社SMBC信託銀行 (株式会社三井住友銀行退職給付信託口)	7,000	1.76
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	6,219	1.57
住友生命保険相互会社	5,776	1.45
BNYM AS AGT/CLTS 10 PERCENT	4,573	1.15
稲畑産業株式会社	4,400	1.11
THE BANK OF NEW YORK, TREATY JASDECACCOUNT	3,977	1.00
日本生命保険相互会社	3,790	0.95
J.P. MORGAN BANK LUXEMBOURG S.A. 381593	3,030	0.76

(注1) 持株比率は、自己株式(611,105株*)を控除して計算しています。

(*当社名義で実質的に所有していない株式1,000株を除く)

(注2) 持株数は千株未満を切り捨てています。

X. 開発パイプライン表 (2026年5月13日現在)

- この表には当社グループが承認取得を目指す品目の適応症に関する主な臨床試験を記載しています。
- 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	開発段階	
低分子	ラツダ／ ルラシドン塩酸塩	(新用法：小児) 統合失調症	申請 (2026/3)
	DSP-0038	アルツハイマー病に伴う精神 病症状	Ph1
	DSP-0187	ナルコレプシー	Ph1
	DSP-3456	治療抵抗性うつ	Ph1
	DSP-0378	進行性ミオクローヌステんか ん、発達性てんかん性脳症	Ph1
	DSP-2342	未定	Ph1
	DSP-0551	パーキンソン病における振戦	Ph1
再生・細胞医薬 (株式会社 RACTHERA と連携)	アムシェプリ／ラグネ プロセル／CT1- DAP001/DSP-1083 (他家 iPS 細胞由来ド パミン神経前駆細胞) (日本)	パーキンソン病	条件及び期限付承認(2026/3) 製造販売後臨床試験
	ラグネプロセル／CT1- DAP001/DSP-1083 (他家 iPS 細胞由来ド パミン神経前駆細胞) (米国)	パーキンソン病	Ph1/2 (医師主導治験)
	HLCR011 (他家 iPS 細胞由来網 膜色素上皮細胞) (日 本)	網膜色素上皮裂孔	Ph1/2
	DSP-3077 (他家 iPS 細胞由来網 膜シート) (米国)	網膜色素変性	Ph1/2
			Ph1/2 (企業治験)

2. がん領域

製品名／一般名／コード名	予定適応症	開発段階
enzomenib	急性白血病	Ph2
nuvisertib	骨髄線維症	Ph1/2
SMP-3124	固形がん	Ph1/2

DSP-0390	膠芽腫	Ph1
----------	-----	-----

3. その他領域

製品名／一般名／コード名	予定適応症	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	Ph1
fH1/DSP-0546LP	インフルエンザ予防	Ph1

【前回 2026 年 1 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	開発段階	変更内容
アムシェプリ／ラグネプロセル／CT1-DAP001/DSP-1083(日本)	パーキンソン病	製造販売後臨床試験	条件及び期限付承認を取得(2026/3)
DSP-0551	パーキンソン病における振戦	Ph1	Ph1 開始

XI. 主な開発品のプロフィール (2026 年 5 月 13 日現在)

1. 精神神経領域

【低分子】

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

- ・ 予定適応症：アルツハイマー病に伴う精神病症状
- ・ 本剤は、Recursion 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_{2A} 受容体アンタゴニスト活性および 5-HT_{1A} 受容体アゴニスト活性を有する。5-HT_{2A} 受容体アンタゴニストおよび 5-HT_{1A} 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 D₂ 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・忍容性が期待される。

DSP-0187

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：ナルコレプシー
- ・ 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。

DSP-3456

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：治療抵抗性うつ
- ・ 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

- ・ 予定適応症：進行性ミオクローヌステんかん、発達性てんかん性脳症
- ・ 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_A 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_A 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テ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 (Recursion 社 (旧 Exscientia 社) との共同研究)、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：未定

- ・ 本剤は、Recursion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_{2A}および5-HT₇受容体へのアンタゴニスト活性を有する。5-HT_{2A}および5-HT₇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_{2A}および5-HT₇受容体への選択性を高めていることから、高い安全性・忍容性が期待される。

DSP-0551

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：パーキンソン病における振戦
- ・ 本剤はフェノタイプ創薬によって見出されたマルチオンチャンネル調節薬であり、振戦との関連が示唆されている複数のカルシウムおよびナトリウムイオンチャンネルに対して阻害活性を示す。これらの作用により、振戦に関連する脳神経回路における異常な神経発火や過剰同期を調節し、パーキンソン病における振戦を改善することが期待される。

【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（健常人）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-DAPO01/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
- ・ 予定適応症：パーキンソン病
- ・ 日本では厚生労働省からパーキンソン病の適応で、2017年2月に再生医療等製品の先駆け審査指定制度の指定を受けており、2025年12月には希少疾病用再生医療等製品の指定を受けた。また、2026年3月に日本における製造販売承認（条件及び期限付承認）を取得した。
- ・ 米国では、カリフォルニア大学サンディエゴ校にて医師主導治験を実施するとともに、並行して企業治験も進めている。

HLCR011（他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞）

- ・ 連携先：株式会社ヘリオス
- ・ 予定適応症：網膜色素上皮裂孔

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）
- ・ 予定適応症：網膜色素変性
- ・ 米国食品医薬品局（FDA）から網膜色素変性の適応で、2026年3月にオーファンドラッグ指定を受けた。

2. がん領域**enzomenib**

起源：自社（京都大学との共同研究）、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：急性白血病
- ・ 本剤はメニタンパク質と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、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、厚生労働省から、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希少疾病用医薬品指定を受けている。

nuvisertib

起源：自社（旧 Tolero 社）、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：骨髄線維症
- ・ 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。本剤は骨髄線維症の適応で、FDA から 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、厚生労働省から 2024 年 11 月に希少疾病用医薬品指定を、欧州医薬品庁 (EMA) から 2025 年 7 月に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）

- ・ 予定適応症：固形がん
- ・ 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。

DSP-0390

起源：自社、剤形：経口剤

- ・ 予定適応症：膠芽腫
- ・ 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。

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

- ・ 予定適応症：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
- ・ 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 β -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

- ・ 予定適応症：インフルエンザ予防
- ・ 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