

2026年度（2027年3月期）第2四半期決算（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	2
III.	売上の状況	3
IV.	地域別売上総利益	5
V.	連結財政状態計算書	6
VI.	四半期業績の推移	7
VII.	主要な子会社等の状況	8
VIII.	株式の状況	9
IX.	開発パイプライン表	10
X.	主な開発品のプロフィール	11

2026年10月30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

(億円)							
1. 連結損益計算書(コアベース)	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減率%	2025年度 実績	2026年度 業績予想	前期比 増減率%	
売上収益	2,271	2,665	17.3	4,533	(5,400)	5,650	24.6
売上原価 *1	897	1,235	37.7	1,964	(2,450)	2,460	25.3
売上総利益	1,374	1,430	4.0	2,569	(2,950)	3,190	24.2
販売費及び一般管理費 *1	740	783	5.9	1,593	(1,550)	1,640	2.9
研究開発費 *1	175	238	35.9	439	(510)	520	18.3
その他(コア内) *2	501	12		523	(20)	20	
コア営業利益	961	421	△ 56.2	1,059	(910)	1,050	△ 0.9
調整項目(△:損) *3	1	2		14	(△ 10)	△ 10	
営業利益	962	423	△ 56.0	1,073	(900)	1,040	△ 3.1
親会社の所有者に帰属する 中間(当期)利益(△は損失)	989	382	△ 61.3	1,069	(770)	940	△ 12.0
基本的1株当たり当期利益(円)	248.84	86.48		268.99	172.89	211.07	
親会社所有者帰属持分当期利益率(ROE)				46.3%	20.3%	24.1%	
投下資本利益率(ROIC)				22.8%	15.1%	17.6%	

(注) 業績予想を修正しています。括弧内の数値は従来の予想値です。業績予想の増減率は、修正予想値の前期比増減率です。

(億円)							
2. 連結損益計算書(フルベース)	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減率%				
売上収益	2,271	2,665	17.3				
売上原価	897	1,235	37.7				
売上総利益	1,374	1,430	4.0				
販売費及び一般管理費	766	787	2.8				
研究開発費	175	238	35.6				
その他の収益・費用等	528	18					
営業利益	962	423	△ 56.0				
金融収益・費用	△ 34	△ 29					
税引前中間利益	928	394	△ 57.6				
法人所得税	△ 61	11					
親会社の所有者に帰属する 中間利益	989	382	△ 61.3				

*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	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	(億円)
営業活動によるキャッシュ・フロー	180	167	
投資活動によるキャッシュ・フロー	276	5	
財務活動によるキャッシュ・フロー	△ 440	176	
現金及び現金同等物の期末残高	385	778	

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)	
	2026年 3月末	2026年 9月末	2025年度 4-9月	2026年度 4-9月	平均	売上収益 (億円)	コア営業 利益(億円)
円/USD	159.90	157.31	146.03	159.49	157.00	29	7

Ⅱ. 連結損益計算書

1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)						
	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減額	増減率%	増減	うち為替
売上収益	2,271	2,665	394	17.3	日本	18
海外売上	1,848	2,218	371	20.1	米国	408 +167
海外売上比率	81.3%	83.2%			その他	△ 32 +11
売上原価	897	1,235	338	37.7		
売上原価率	39.5%	46.4%				
売上総利益	1,374	1,430	55	4.0		
販売費及び一般管理費	740	783	44	5.9		
人件費	373	351	△ 22	△ 5.9		
販売促進費・広告宣伝費	91	139	48	52.3		
減価償却費	83	78	△ 5	△ 6.3		
その他	192	215	23	12.1		
研究開発費	175	238	63	35.9		
研究開発費売上収益比率	7.7%	8.9%				
その他(コア内)	501	12	△ 489			
コア営業利益	961	421	△ 540	△ 56.2		
調整項目 (△:損)	1	2	1			
営業利益	962	423	△ 539	△ 56.0		
金融収益	12	16	3			
金融費用	46	45	△ 1			
税引前中間利益	928	394	△ 534	△ 57.6		
法人所得税	△ 61	11	72			
親会社の所有者に帰属する 中間利益	989	382	△ 606	△ 61.3		

2. コア営業利益への調整項目

(億円)						
2026年度2Q実績	フルベース	調整項目				コアベース
		減損損失	事業構造改善 費用	条件付対価公正 価値変動額	その他	
売上収益	2,665	—	—	—	—	2,665
売上原価	1,235	—	—	—	—	1,235
売上総利益	1,430	—	—	—	—	1,430
販売費及び一般管理費	787	△ 0	—	△ 0	△ 4	783
研究開発費	238	—	—	—	—	238
その他の収益・費用等	18	—	—	△ 6	1	12
営業利益	423	0	—	△ 6	4	421

(億円)						
2025年度2Q実績	フルベース	調整項目				コアベース
		減損損失	事業構造改善 費用	条件付対価公正 価値変動額	その他	
売上収益	2,271	—	—	—	—	2,271
売上原価	897	—	—	—	—	897
売上総利益	1,374	—	—	—	—	1,374
販売費及び一般管理費	766	△ 20	△ 1	△ 1	△ 4	740
研究開発費	175	—	△ 0	—	—	175
その他の収益・費用等	528	—	—	△ 16	△ 12	501
営業利益	962	20	2	△ 15	△ 7	961

Ⅲ. 売上の状況

1. 地域別売上収益

(億円)

地域	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減額	増減率%	2026年度 予想	進捗率%	
日本	428	446	18	4.2	(876)	885	51.0
米国	1,570	1,978	408	26.0	(4,064)	4,251	48.7
その他	273	241	△ 32	△ 11.8	(460)	514	52.3
合計	2,271	2,665	394	17.3	(5,400)	5,650	49.4

2. 主要製品の売上収益①

(仕切価ベース、億円)

品目 〔薬効〕	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減額	増減率%	2026年度 予想	進捗率%	
日本							
ゼブリオン・ゼブリオンTRI 〔持続性抗精神病剤〕'26.1～	—	82	82	—	171	48.0	
ラソーダ 〔非定型抗精神病薬〕	69	73	4	5.2	(136)	139	53.3
ツイミーグ 〔2型糖尿病治療剤〕'21.9～	50	66	16	31.4	(119)	132	55.1
メトグルコ 〔2型糖尿病治療剤〕	37	38	1	2.8		76	49.9
エクア・エクメット 〔2型糖尿病治療剤〕	75	—	△ 75	—		—	—
オーソライズドジェネリック品	61	59	△ 1	△ 1.9	(112)	118	53.1

(注) 一部製品の売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。進捗率は従来予想値に対する比率です。

2. 主要製品の売上収益②

(億円)							
品目 [薬効]	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減額	増減率%	2026年度 予想	進捗率%	
米国							
オルゴビクス [進行性前立腺がん治療剤]	691	1,086	394	57.0	(2,099)	2,134	51.7
ジェムテサ [過活動膀胱治療剤]	434	649	215	49.6	(1,063)	1,180	61.0
マイフェンブリー [子宮筋腫・子宮内膜症治療剤]	63	93	30	46.8	(154)	171	60.5
'21.6～/'22.8～ 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]	33	31	△ 2	△ 5.5	(54)	61	57.8
'22.3～ アプティオム [抗てんかん剤]	107	25	△ 81	△ 76.2	(54)	52	47.1

(参考)米国 現地通貨ベース

(参考)米国 現地通貨ベース						(百万ドル)	
品目	2025年度 2Q実績	2026年度 2Q実績	増減額	増減率%	2026年度 予想	進捗率%	
オルゴビクス	473	681	207	43.8	(1,354)	1,359	50.3
ジェムテサ	297	407	110	37.0	(686)	752	59.3
マイフェンブリー	43	58	15	34.4	(100)	109	58.6
リサイミック	22	20	△ 3	△ 13.2	(35)	38	55.7
アプティオム	73	16	△ 57	△ 78.2	(35)	33	45.5

(注) 売上予想を修正しています。括弧内の数値は、従来の予想値です。進捗率は従来予想値に対する比率です。

IV. 地域別売上総利益(コアベース)

(億円)

2026年度2Q実績	日本	米国	その他	合計
売上収益	446	1,978	241	2,665
売上原価	250	781	204	1,235
売上総利益	196	1,197	36	1,430

(億円)

2025年度2Q実績	日本	米国	その他	合計
売上収益	428	1,570	273	2,271
売上原価	219	569	109	897
売上総利益	210	1,001	163	1,374

(億円)

2026年度予想	日本	米国	その他	合計
売上収益	885	4,251	514	5,650
売上原価	507	1,523	430	2,460
売上総利益	378	2,728	84	3,190

(注) 業績予想を修正しています。上表は修正後の予想値です。

V. 連結財政状態計算書

(億円)			
科 目	2026年 3月末	2026年 9月末	対前年度末 増減額
資産	8,046	8,511	465
(非流動資産)	5,253	5,137	△ 116
有形固定資産	442	443	1
のれん	2,111	2,077	△ 34
無形資産	1,605	1,540	△ 64
特許権・販売権	1,559	1,497	△ 61
仕掛研究開発	7	7	—
その他	39	36	△ 3
その他の金融資産	447	586	139
その他の非流動資産	644	484	△ 160
繰延税金資産	4	8	3
(流動資産)	2,793	3,374	581
棚卸資産	854	905	51
営業債権及びその他の債権	1,314	1,520	206
その他の金融資産	53	69	15
その他の流動資産	128	102	△ 26
現金及び現金同等物	443	778	334
負債	5,121	4,199	△ 922
(非流動負債)	2,406	1,720	△ 686
社債及び借入金	1,791	1,197	△ 594 ← 長期借入金の返済
その他の金融負債	166	166	0
退職給付に係る負債	57	56	△ 0
その他の非流動負債	235	152	△ 83
繰延税金負債	158	149	△ 9
(流動負債)	2,715	2,479	△ 236
借入金	381	200	△ 181
営業債務及びその他の債務	567	618	51
その他の金融負債	352	401	49
未払法人所得税	11	51	40
引当金	896	884	△ 12
その他の流動負債	508	326	△ 182
資本	2,925	4,311	1,386
資本金	224	713	489 ← 新株式発行による増加
資本剰余金	—	483	483 ← 新株式発行による増加
自己株式	△ 7	△ 7	△ 0
利益剰余金	1,590	2,003	413
その他の資本の構成要素	1,118	1,119	2
親会社の所有者に帰属する持分	2,925	4,311	1,386

主な特許権	26/3	26/9
オルゴビクス	586	561
マイフェンブリー	89	86
ジェムテサ	869	839

VI. 四半期業績の推移

1. 連結損益計算書(コアベース)

(億円)

	2025年度				2026年度	
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
売上収益	1,080	1,191	1,206	1,055	1,295	1,370
売上原価	441	456	554	513	614	621
売上総利益	639	735	652	543	681	749
販売費及び一般管理費	354	386	425	429	390	394
研究開発費	81	94	104	161	114	123
その他(コア内)	△ 1	501	10	12	4	8
コア営業利益(△は損失)	204	757	134	△ 35	181	240
調整項目(△:損)	0	0	3	11	1	1
営業利益(△は損失)	204	758	136	△ 24	182	241
親会社の所有者に帰属する 四半期利益(△は損失)	112	877	88	△ 8	170	212

2. 主要製品の売上収益

	2025年度				2026年度	
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
＜日本＞	(仕切価ベース、億円)					
ゼブリオン・ゼブリオンTRI	—	—	—	32	41	41
ラソーダ	35	34	38	30	37	36
ツイミーグ	24	26	29	27	33	33
メトグルコ	19	18	20	17	19	19
エクア・エクメット	42	33	12	—	—	—
オーソライズドジェネリック品	31	30	33	28	30	29
＜米国＞	(百万ドル)					
オルゴビクス	226	247	304	252	323	357
ジェムテサ	147	150	189	151	189	217
マイフェンブリー	20	24	30	22	30	28
リサイミック	6	17	8	11	11	8
アプティオム	49	24	11	15	8	8

Ⅶ. 主要な子会社等の状況(2026年9月30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%	21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%	1,234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)		2025/3/31		2026/3/31		2026/9/30	
連結／個別		3,832	1,799	3,123	1,747	3,135	1,754
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	390	450	460	510	470	530
米国	マネージャー除く／総数	380	430	390	440	370	430

Ⅷ. 株式の状況(2026年9月30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 449,204,554株(自己株式611,469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	31	78,570	17.49
金融商品取引業者	58	5,753	1.28
その他の法人	916	216,845	48.28
外国法人等	1,294	72,814	16.21
個人・その他(自己株式を含む)	106,253	75,222	16.74
合計	108,552	449,204	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	45.84
日本マスタートラスト信託銀行株式会社(信託口)	43,631	9.73
株式会社日本カストディ銀行(信託口)	13,643	3.04
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	1.56
住友生命保険相互会社	5,776	1.29
THE BANK OF NEW YORK, TREATY JASDEC ACCOUNT	4,519	1.01
稲畑産業株式会社	4,400	0.98
日本生命保険相互会社	3,790	0.85
BROWN BROTHERS HARRIMAN (LUXEMBOURG) SCA CUSTODIAN FOR ARCUS FUND SICAV – ARCUS JAPAN FUND	3,746	0.84
GOVERNMENT OF NORWAY	3,647	0.81

(注1) 持株比率は、自己株式(611,469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。

Ⅸ. 開発パイプライン表（2026年10月30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	（新用法：小児）統合失調症	申請（2026/3）
ラゾーダ／ ルラシドン塩酸塩		
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	進行性ミオクロヌスてんかん、 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）	パーキンソン病	製造販売後臨床試験
アムシェプリ／ラグネプロセル／CT1- DAP001/DSP-1083 （他家 iPS 細胞由来ドーパミン神経前駆細胞） （日本）		
ラグネプロセル／CT1- DAP001/DSP-1083 （他家 iPS 細胞由来ドー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）
		Ph1/2 （企業治験）
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

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

X. 主な開発品のプロフィール (2026 年 10 月 30 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てんかん、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 (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イオンチャネル調節薬であり、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、iPS 細胞を用いた再生・細胞医薬品の研究開発に注力している。

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、カリフォルニア大学サンディエゴ校等
- ・ 予定適応症：パーキンソン病
- ・ 日本では、「レボドパ含有製剤を含む既存の薬物療法で十分な効果が得られないパーキンソン病患者の運動症状の改善」を効能、効果又は性能として、2026 年 3 月に製造販売承認（条件及び期限付承認）を取得。販売名は「アムシェブリ」（一般的名称「ラグネプロセル」）。
- ・ 米国では、カリフォルニア大学サンディエゴ校等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、九州大学等
- ・ 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）、ミネソタ大学等
- ・ 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な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、2026 年 7 月に急性リンパ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、2026 年 10 月に KMT2A 遺伝子の再構成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ブレイクスルーセラピー指定を受けている。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、2026 年 8 月に急性骨髄性白血病における対象患者の範囲拡大（初発例を含む KMT2A 遺伝子再構成または NPM1 遺伝子変異を有する患者）および再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成を有する急性リンパ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 PEG（ポリエチレングリコール）で修飾したリポソ

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。本剤はリボ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
- ・ 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、毎年流行株に合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