

R&D説明会

■将来予測に関する事項

- ・ 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・目標など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など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。

■本日のアジェンダ

1. R&D進捗と基本方針

常務執行役員 R&D本部担当

R&D本部長 兼 Sumitomo Pharma America社 Chief Development Officer

佐藤 由美

2. がん主要開発2品目について

- 選択的メニン阻害剤 enzomenib
- PIM1キナーゼ阻害剤 nuvisertib

オンコロジー事業戦略担当 兼

Sumitomo Pharma America社 Lead Senior Vice President

村田 真志

3. 質疑応答

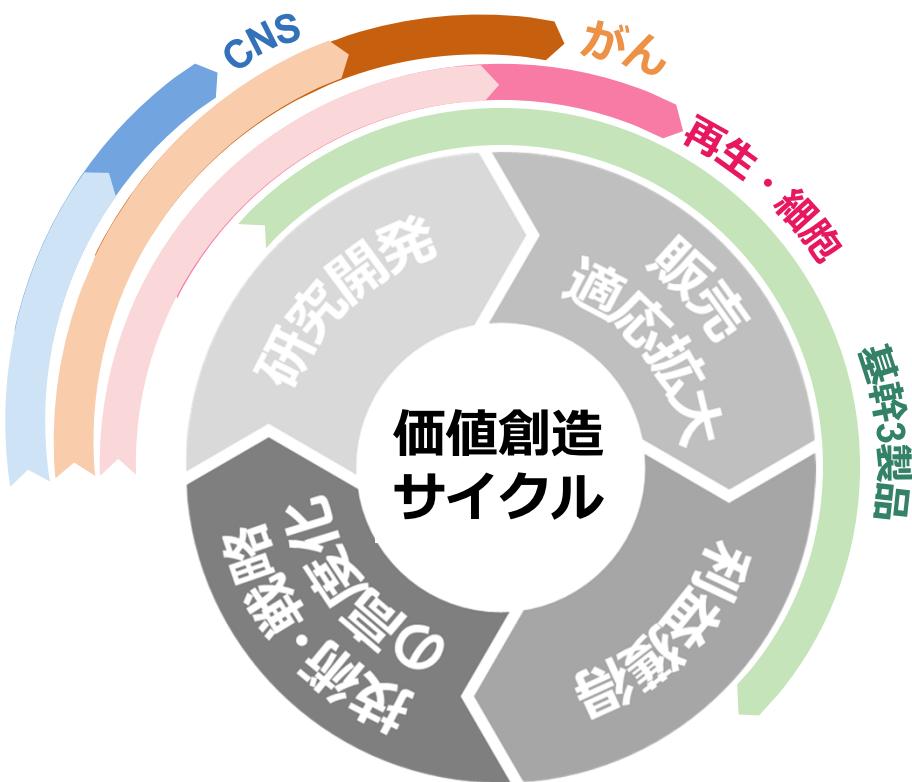
R&D進捗と基本方針

常務執行役員
R&D本部担当 R&D本部長 兼
Sumitomo Pharma America社 Chief Development Officer

佐藤 由美

■Reboot 2027

- ✓ 抜本的構造改革の継続と並行して、研究開発型ファーマとしての基盤再建に取り組む
- ✓ 自社イノベーション基軸の価値創造サイクルを再構築することで復活への道筋をつける



- 基幹3製品の売上拡大による収益基盤の安定化
- 再生・細胞およびがんの事業化から「価値創造サイクル」の構築を開始

基幹3製品

売上拡大により、当社グループの収益基盤を確立
2,500億円規模に拡大 (FY2027)

再生・細胞

iPS細胞-PDの承認・上市によりiPS細胞医薬品の事業開始
RACTHERAとの連携の下、事業拡大を進める

がん

最優先でリソースを投入し、最速開発を推進 (提携の活用)
enzomenib上市、nuvisertib申請 (FY2027)

CNS

蓄積したノウハウ・基盤技術を活かして開発を再始動
基幹3製品LOE後の収益基盤として期待

■2025年度に目指したマイルストンの達成状況

1. がん領域の進捗（詳細はこの後説明）

- ✓ enzomenib (DSP-5336) :日米承認取得を目指し、KMT2A再構成を有する再発/難治性の急性白血病に対する単剤Ph2試験（検証コホート）を開始。ベネトクラクス/アザシチジン（Ven/Aza）との併用療法を含めた最新データをASH2025にて発表
- ✓ nuvisertib (TP-3654) :日米承認取得を目指し、再発/難治性の骨髄線維症に対しモメロチニブとの併用療法および単剤でのPh1/2コホートを推進中。最新データをASH2025にて発表
- ✓ SMP-3124のPh1/2コホートを推進中

2. 再生・細胞の進捗

- ✓ raguneprocel :先駆け指定申請に基づき、2025年8月に日本で製造販売承認申請。2026年2月19日再生医療等製品・生物由来技術部会にて審議される予定。米国では、医師主導治験（非凍結細胞）及び企業治験（凍結細胞）を推進中
- ✓ HLCR011（網膜色素上皮裂孔、日本）、DSP-3077（網膜色素変性、米国）について企業治験を推進中

3. 感染症

- ✓ ユニバーサルインフルエンザワクチン (fH1/DSP-0546LP) :Ph1試験中間解析にて、新規アジュバントの忍容性とLAH 抗体価の上昇を確認。交差反応性、ウイルス活性解析中

■主な開発品目一覧（2026年1月30日現在）

領域	一般名/コード名	作用機序等	予定適応症	開発段階
精神神経	DSP-0038	セロトニン 5-HT _{2A} 受容体アンタゴニスト、5-HT _{1A} 受容体アゴニスト	アルツハイマー病に伴う精神病症状	フェーズ1
	DSP-0187*	選択的オレキシン2受容体アゴニスト	ナルコレプシー	フェーズ1
	DSP-3456	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	治療抵抗性うつ	フェーズ1
	DSP-0378	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	進行性ミオクローネスてんかん 発達性てんかん性脳症	フェーズ1
	DSP-2342	セロトニン 5-HT _{2A} 、5-HT ₇ 受容体アンタゴニスト	未定	フェーズ1
	CT1-DAP001/DSP-1083（日本）	他家iPS細胞由来ドバミン神経前駆細胞	パーキンソン病／医師主導治験	申請 (2025/8)
	CT1-DAP001/DSP-1083（米国）	他家iPS細胞由来ドバミン神経前駆細胞	パーキンソン病／医師主導治験・企業治験	フェーズ1/2
	HLCR011（日本）	他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞	網膜色素上皮裂孔	フェーズ1/2
	DSP-3077（米国）	他家iPS細胞由来網膜シート	網膜色素変性	フェーズ1/2
がん	enzomenib/DSP-5336	選択的メニン阻害	急性白血病	フェーズ2
	nuvisertib/TP-3654	PIM1キナーゼ阻害	骨髄線維症	フェーズ1/2
	SMP-3124	CHK1阻害	固形がん	フェーズ1/2
	DSP-0390	EBP阻害	膠芽腫	フェーズ1
その他	KSP-1007	β-ラクタマーゼ阻害	複雑性尿路・腹腔内感染症、院内肺炎	フェーズ1
	fH1/DSP-0546LP	アジュバント添加スプリットワクチン	インフルエンザ予防	フェーズ1

* 開発権利国は、日本、中国および一部のアジア

■ 基本戦略とKey Success Factors (KSF)

自社創薬研究を通じた新たな価値の発見、臨床開発を通じた価値の創出および価値の最大化により
価値創造サイクルを回していく

基本戦略

1. 当社の強みである低分子～中分子薬とiPS由来細胞をモダリティの基軸とし、オンコロジーとCNSをコア疾患領域として選択と集中により機会を最大化・加速化する
2. 患者シグナルを早期に取得することを重視し、Value Inflection Pointを見極め、機動的な出口戦略を実行する

当社のKSF

1. コア疾患領域を定め、長期にわたって取り組むことにより、当該領域における経験と組織の遂行能力を高め、成功確度の向上を図る
2. コア機能を定め、機能の充実を図るとともに変化への柔軟性を獲得し競争力を高める
3. 共同研究・共同開発を通じて研究開発リスクを低減するとともに、提携を通じて自組織の能力を検証し、組織の遂行能力の底上げを図る

■SMPの疾患領域と画期的新薬創薬力

コア疾患領域：がん、CNS

1. 市場規模と医療ニーズ

- ・いずれの領域も患者数が多く、アンメットニーズが高く、低分子薬と再生細胞の活用が進む可能性が高い

2. 当社の創薬力を最大限に活かす（右表）

- ・当社は低～中分子薬の設計・合成・開発力に強みを持ち、高難度標的分子への対応が可能
- ・従来モダリティで困難だった標的が多く存在する領域であり、**低分子薬の高機能化、最先端モダリティであるiPS細胞の活用**により、当社の技術力が活きる
- ・PDXモデル*、非齧歯類非臨床評価系、iPS細胞由来疾患モデルなどの充実したトランスレーショナル技術を保有し、臨床成功確度を高めることが可能

3. 研究開発パイプラインの継続性

- ・ORGOVYX®・enzumenib・nuvisertibを中心とした、がん研究開発パイプラインのさらなる拡張と補強
- ・上市を見据えた再生細胞 raguneprocel の開発の進展を通じた、連続性のあるCNS研究開発パイプラインの確立

FDA優先審査指定取得実績（2012～）

- **nuvisertib** (2025 がん Fast Track)
- **enzumenib** (2024 がん Fast Track)
- **KSP-1007** (2022 感染症 Fast Track)
- **DSP-7888** (2020 がん Breakthrough Therapy)
- **ulotaront** (2019 CNS Breakthrough Therapy)

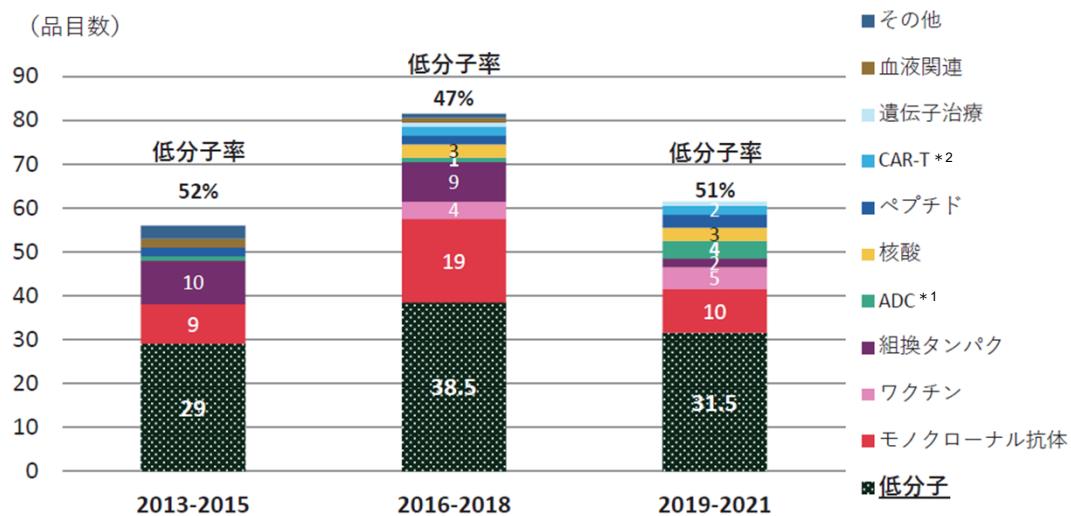
- ✓ 日本製薬企業の低分子薬の創薬力が低下する中、低分子創薬の可能性を追求し、国内トップレベルで、継続してFDA優先審査指定を取得（自社化学合成品、低分子:4、合成ペプチド:1）

* PDXモデル：Patient-Derived Xenograftモデル、患者由来の腫瘍組織を免疫不全マウスに移植し、薬効評価を行う前臨床モデル

出所: PMDA、FDA、EMAの各公開情報、Clarivate Analytics Cortellis Competitive Intelligenceを基に医薬産業政策研究所にて作成

合成低分子創薬の競争力比較（アメリカvs日本）

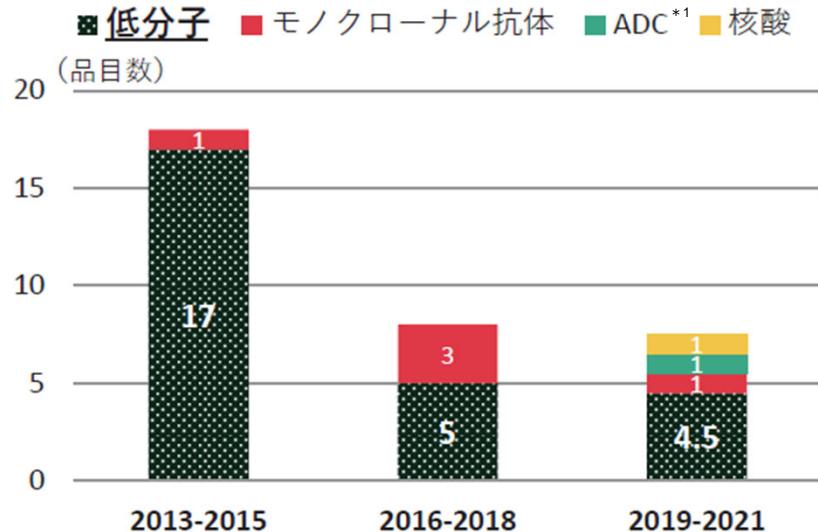
モダリティと承認品目数の年次推移（アメリカ）



*1 ADC: Antibody-drug conjugate (抗体薬物複合体)

*2 CAR-T: Chimeric Antigen Receptor T-cell (キメラ抗原受容体T細胞)

モダリティと承認品目数の年次推移（日本）



※1: 数は品目数。出願人として複数の機関が記されている場合、国籍別に均等割している。

※2: 日米欧2極以上で承認され、2013年以降にいずれかの審査機関で初めて承認を受けた品目

アメリカ：継続的に合成低分子創薬の可能性を追求

▶新規モダリティの種類が増える一方、合成低分子薬の承認数を維持

日本：新規モダリティへ軸を移した結果、合成低分子創薬力が著しく低下

▶抗体等新規モダリティを取り入れたものの、大幅な承認薬数の低下を補う事ができない

■がん領域の拡大戦略

- ✓ 自社製品・パイプライン・技術基盤を活用、**パイプライン強化と次世代薬剤創出の双方を推進**
- ✓ 加えて、新規標的・技術基盤の探索を継続し、**持続的な成長を実現する研究開発体制を構築する**

自社製品を活かす

ORGOVYX®を起点とした次世代薬剤創出

前立腺がん領域の連続性強化

Tier
01

自社パイプラインを活かす

enzumenib・nuvisertibの適応取得・適応拡大

造血器腫瘍パイプラインの拡充

Tier
02

自社技術基盤（Liposomal Nanomedicine）を活かす

SMP-3124の開発推進

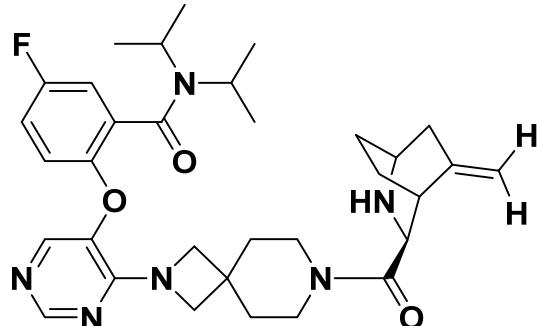
- ・技術基盤の検証
- ・内包化合物の標的の検証

「技術基盤」「標的」両面からの展開

Tier
03

Lenzomenib (DSP-5336)

アカデミアとの共創を起点とし、当社の緻密な化合物設計力・合成力、競合を見越したプロファイル設計によって競争力のある品目を創製した



- 高難度の蛋白-蛋白結合阻害作用を有する低分子薬
- 複雑な構造を有し、従来の経口低分子の常識に捕らわれない化合物設計
- 他社との激しい競争の中、強固な特許ポートフォリオを構築中



アカデミアとの共創による創薬標的の発見

- ✓ DSKプロジェクト^{*1}（アカデミア基礎研究と企業研究のマッチング）でメニンサイエンスの先駆者である横山明彦先生を代表研究者に迎え入れた



化合物設計力とMDシミュレーション^{*2}

- ✓ 新しい標的結合部位の発見と効率的に結合する化合物の設計力
- ✓ 工業化可能な化合物を実際に作れる有機合成力



激しい競合を見越したプロファイル設計

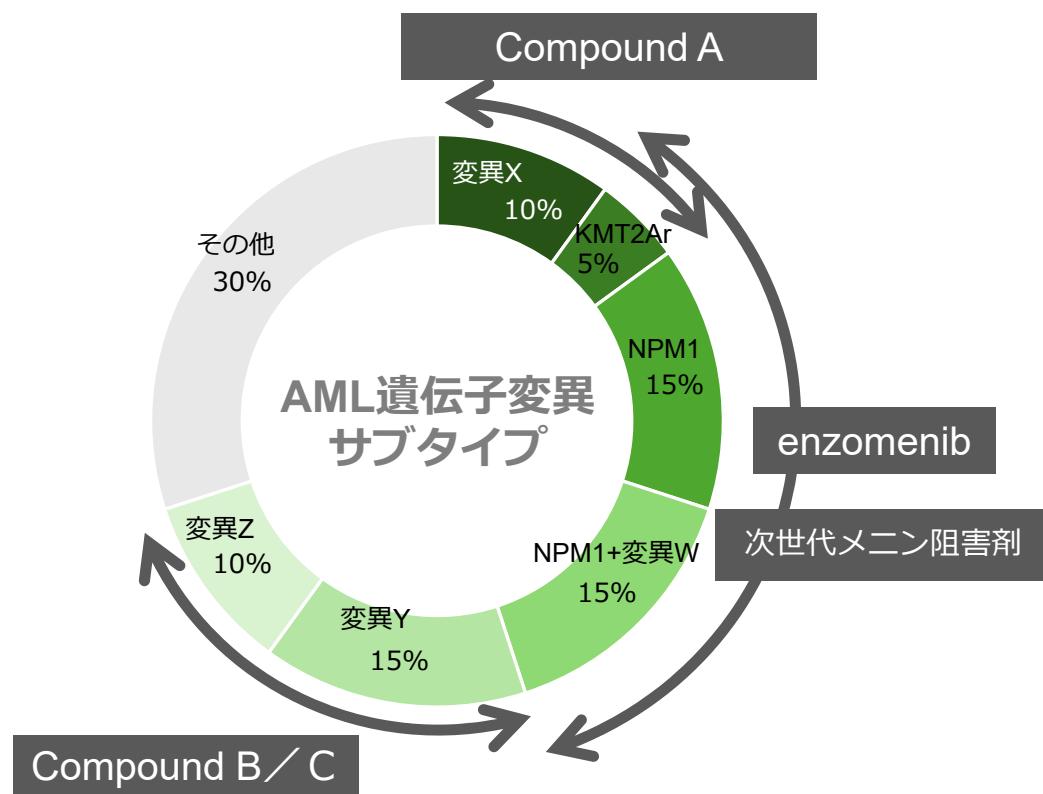
- ✓ 競合を見据え、高い薬理効果と心毒性の回避を重視
- ✓ 患者層別化、臨床効果予測を可能にするバイオマーカーの開発

*1 DSKプロジェクト：京都大学と住友ファーマによる産学連携のがん創薬プロジェクト。2011年度（第1期開始）から2020年度（第2期終了）まで実施。

*2 MDシミュレーション：分子動力学（Molecular Dynamics）シミュレーション。化合物やタンパク質の動きを原子レベルで再現し、結合様式や安定性を評価する計算手法。

急性骨髓性白血病（AML）創薬のカバレッジ

当社のパイプライン群はAML遺伝子変異サブタイプの約70%に対する効果が期待でき、AMLに対して包括的で連続性のあるポートフォリオが構築されつつある



enzomenib:

- KMT2A再構成およびNPM1変異
- 単剤療法、Ven/Aza*との併用療法
- Ph2実施中

次世代メニン阻害剤:

- メニン阻害剤不応答 or 再発（獲得耐性）
- 単剤療法、併用療法
- 非臨床研究推進中

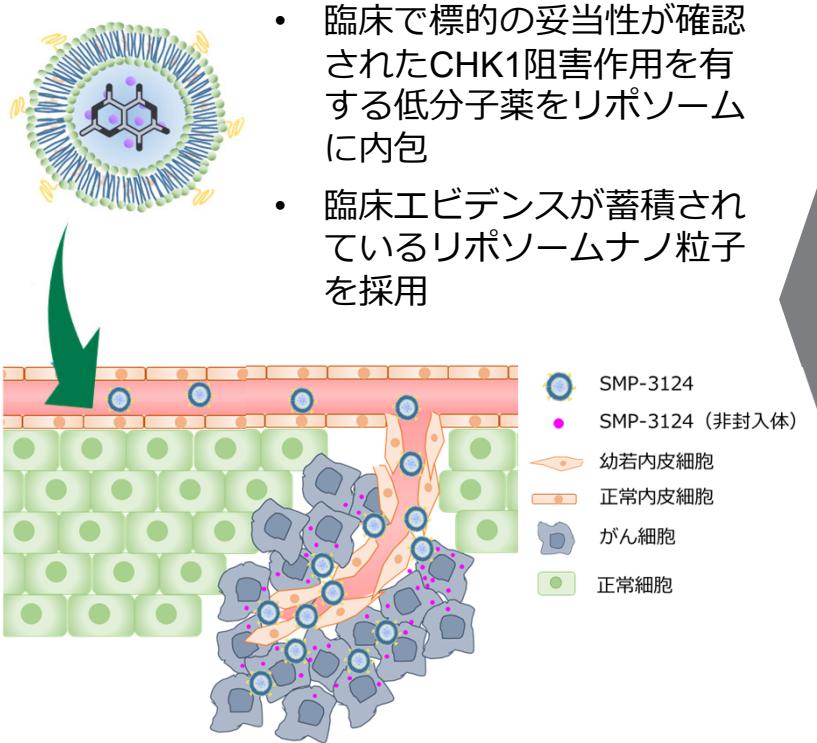
Compound A/B/C:

- 既存治療抵抗性（変異X/Y/Z）
- 単剤療法、併用療法
- 非臨床研究推進中

* Ven : ベネトクラクス、Aza : アザシチジン

SMP-3124

- ✓ 先行事例を活用した製品設計により、臨床成功確度を向上
- ✓ SMP-3124の開発を通じてLiposomal Nanomedicine技術を検証



Sumitomo Pharma



アカデミアとの共創による創薬標的の発見

- ✓ 京都大学産婦人科（万代先生、濱西先生）との共同研究により卵巣がんの臨床検体を用いて自社キナーゼHTSライブラリを評価
- ✓ CHK1阻害が卵巣がんに対し最適な標的であることを発見



先行事例をふまえたプロファイル設計

- ✓ 先行CHK1阻害剤の開発停滞要因が有効性ではなく、副作用と十分に乖離しないことが課題であることに着目



Liposomal Nanomedicine技術

- ✓ 生体内での徐放性とがん組織への薬剤蓄積効果によって、局所で薬剤血中濃度を維持、副作用の軽減と有効性の増強を期待
- ✓ リポソーム製剤の物性に適した内包化合物（選択的CHK1阻害剤）の設計力と合成功力
- ✓ 幅広い標的への適用範囲を期待

CNS領域の創薬戦略

- ✓ CNS領域は、治療につながる薬剤開発が停滞しており、長期的に医療ニーズが残存する領域
- ✓ 創薬難度が高く、他社の参入障壁は高い。豊富な経験、アセット、強みを生かし、着実に展開

高い臨床成功確度が見込める品目

- DSP-0378 (GABA_A受容体PAM*)
- パーキンソン病の運動症状改善薬候補品



- ✓ 治療効果の裏付けが明確
- ✓ 既存薬との差別化につながるユニークな作用
- ✓ 客観的指標を活用し、コンパクトに有効性を検証

Tier
01

神経変性疾患の疾患修飾薬

- パーキンソンを中心とした複数の疾患修飾薬候補品



- ✓ 病態解明が進み、取り組むべき創薬標的を特定
- ✓ 脳の細胞内異常蓄積物を除去する低分子の優位性
- ✓ 先端的なバイオマーカー技術を活用し、患者での有効性シグナルを早期検出

Tier
02

神経疾患に伴う精神症状に対する治療薬

- DSP-2342 (5-HT_{2A}・5-HT₇受容体アンタゴニスト)
- 複数の精神症状改善薬候補品



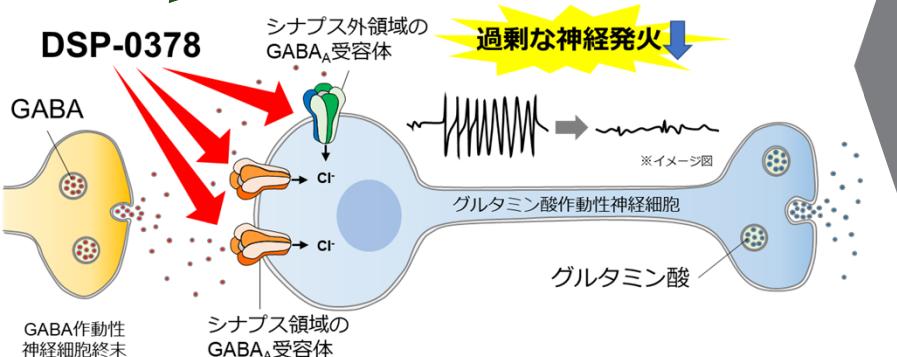
- ✓ ラツーダ[®]・ulotarontで蓄積した経験・アセットを神経変性疾患に活用
- ✓ 背景が均質な疾患でのバイオマーカーの活用により、有効性シグナルを早期検出

Tier
03

DSP-0378

- ✓ 抗てんかん薬を指向した化合物群に“症状”を評価する独自のスクリーニング手法を適用
- ✓ 臨床で効果が実証された“妥当な標的”に対するユニークな作用機序を発見

- ✓ ユニークな薬理作用
- ✓ 優れた脳移行性
- ✓ 望ましい安全性プロファイル



*1 フェノタイプスクリーニング：細胞や動物における病態を反映した特徴への作用を評価して絞り込む方法

*2 NHP : non-human primate、非ヒト霊長類

過去の抗てんかん薬の経験

- ✓ エクセグラン®、DSP-0565の開発の経験から、抗てんかん薬に適した化合物ライブラリを保有
- ✓ このライブラリを活用し、起点化合物を発見



独自の薬理評価戦略による絞り込みと臨床で効果が実証されている標的の同定

- ✓ 臨床を反映したフェノタイプスクリーニング^{*1}により、難治てんかんに最適な化合物を見出した複数の薬理評価系でメカニズムと作用点を同定
- ✓ 臨床で効果が実証されている標的 (GABA_A受容体) の、既存薬にないユニークな作用を確認



トランスレーショナルバイオマーカー設計

- ✓ NHP^{*2}を活用し、薬理作用を確実に臨床で反映するトランスレーショナルバイオマーカー（脳波）を特定

■中長期の研究開発目標

FY2025 > FY2026 > FY2027 > FY2028-FY2030 > FY2031-FY2033

住友ファーマの研究開発力

- 難度の高い標的に対する創薬化学力
- iPS細胞に関する世界最先端の技術・経験
- enzomenib・nuvisertibで得られるデータ・ノウハウに基づく研究開発の循環
- CNS創薬・トランスレーショナル研究基盤
- イノベーションを推進するAI・デジタル技術



事業化までやりきる開発・CMC組織

次世代パイプラインの上市

- ✓ 造血器腫瘍、神経希少・変性疾患
- ✓ SMP-3124の上市

再生・細胞医薬事業の拡大

- ✓ HLCR011、DSP-3077など

CNSパイプラインの上市

- ✓ 米国iPS細胞-PDプログラム
- ✓ DSP-0378
- ✓ パーキンソン病の症状改善薬

がん2品目の申請・上市

- ✓ enzomenibの上市
- ✓ nuvisertibの申請

世界初iPS細胞由来製品の実用化

- ✓ iPS細胞-PDプログラムの国内条件および期限付承認取得

提携先による事業化
ulotaront、DSP-0187、
感染症品目、など

がん主要開発2品目について

オンコロジー事業戦略担当 兼
Sumitomo Pharma America社 Lead Senior Vice President

村田 真志

■がん領域の拡大戦略

- ✓ 自社製品・パイプライン・技術基盤を活用、**パイプライン強化と次世代薬剤創出の双方を推進**
- ✓ 加えて、新規標的・技術基盤の探索を継続し、**持続的な成長を実現する研究開発体制を構築する**

自社製品を活かす

ORGOVYX®を起点とした次世代薬剤創出

前立腺がん領域の連続性強化

Tier
01

自社パイプラインを活かす

enzumenib・nuvisertibの適応取得・適応拡大

造血器腫瘍パイプラインの拡充

Tier
02

自社技術基盤（Liposomal Nanomedicine）を活かす

SMP-3124の開発推進

- ・技術基盤の検証
- ・内包化合物の標的の検証

「技術基盤」「標的」両面からの展開

Tier
03

enzomenib

作用機序	選択的メニン阻害
開発段階	フェーズ2
予定適応症	急性白血病（KMT2A再構成型、NPM1変異型）

急性骨髓性白血病（AML）の疾患背景

- ✓ 病状の進行が早く、**早期診断・治療が極めて重要**
- ✓ **約50%が再発**し、再発後の予後は厳しく、生存期間中央値は**5~6ヶ月**

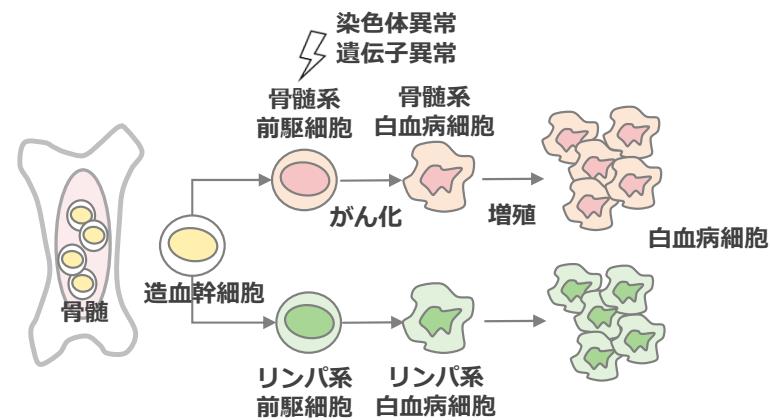
病態・症状

未熟な白血病細胞が増殖し、貧血・出血・感染症などの
全身の臨床症状が急速に進行する

- ・ 発熱、疲労感、めまい、頭痛、嘔吐
- ・ 貧血、出血、感染症
- ・ 精神症状
- ・ リンパ節腫脹、肝脾腫

予後・転帰

- ・ 治療により完全寛解を達成しても**約50%が再発**する
- ・ 患者が有する遺伝子変異によっては予後が悪くなる
- ・ **成人の5年生存率は~30%**
(多くは高齢で、集中的な化学療法に耐えられない)
- ・ **小児および青年では5年生存率は~65%**



米国



日本

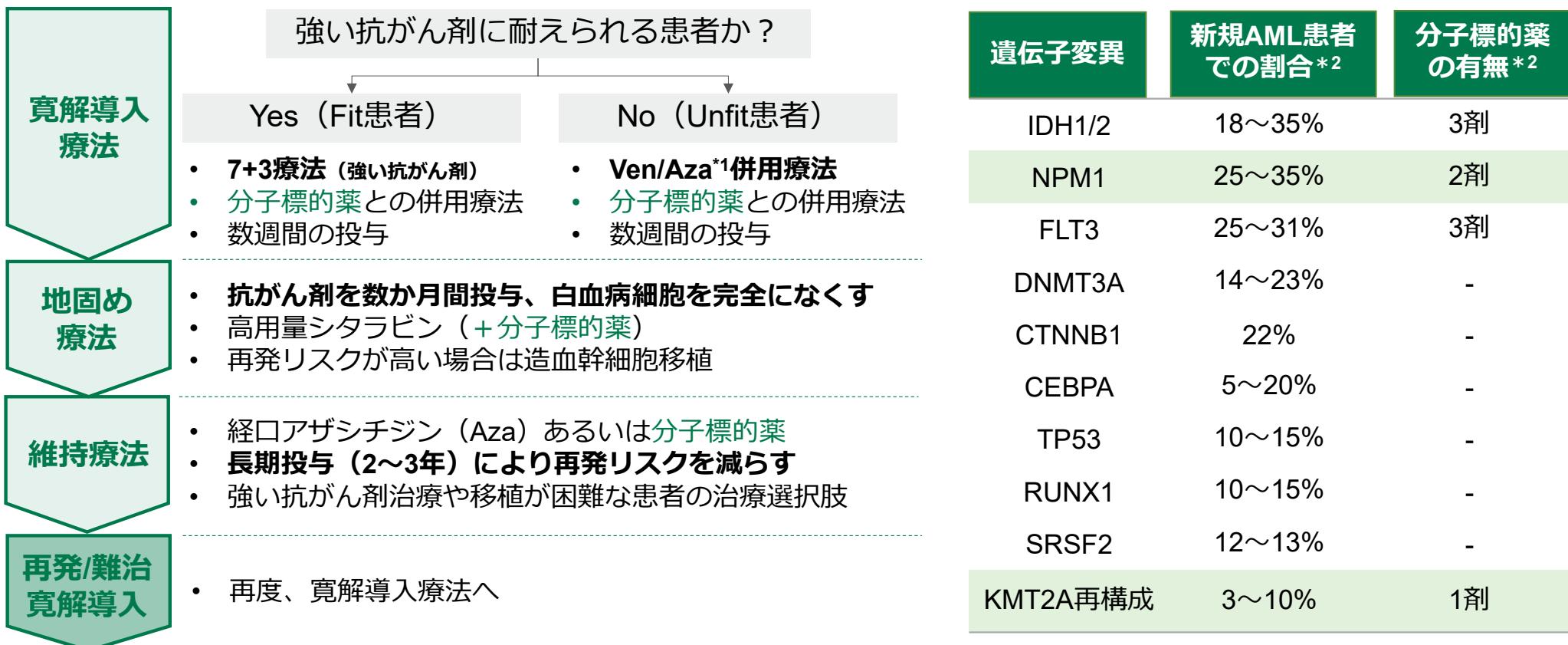
新規患者数/年*

約21,000人/年 約8,000人/年

*Global Data Epidemiology Database(2025)から概算

■現在の治療環境とアンメットメディカルニーズ

- ✓ 高齢者や移植非適応患者への治療選択肢が限られ、**再発/難治例への実効的な治療は、依然乏しい**
- ✓ 遺伝子変異に応じた分子標的薬が普及しつつあるものの、**治療満足度は十分とは言えない**

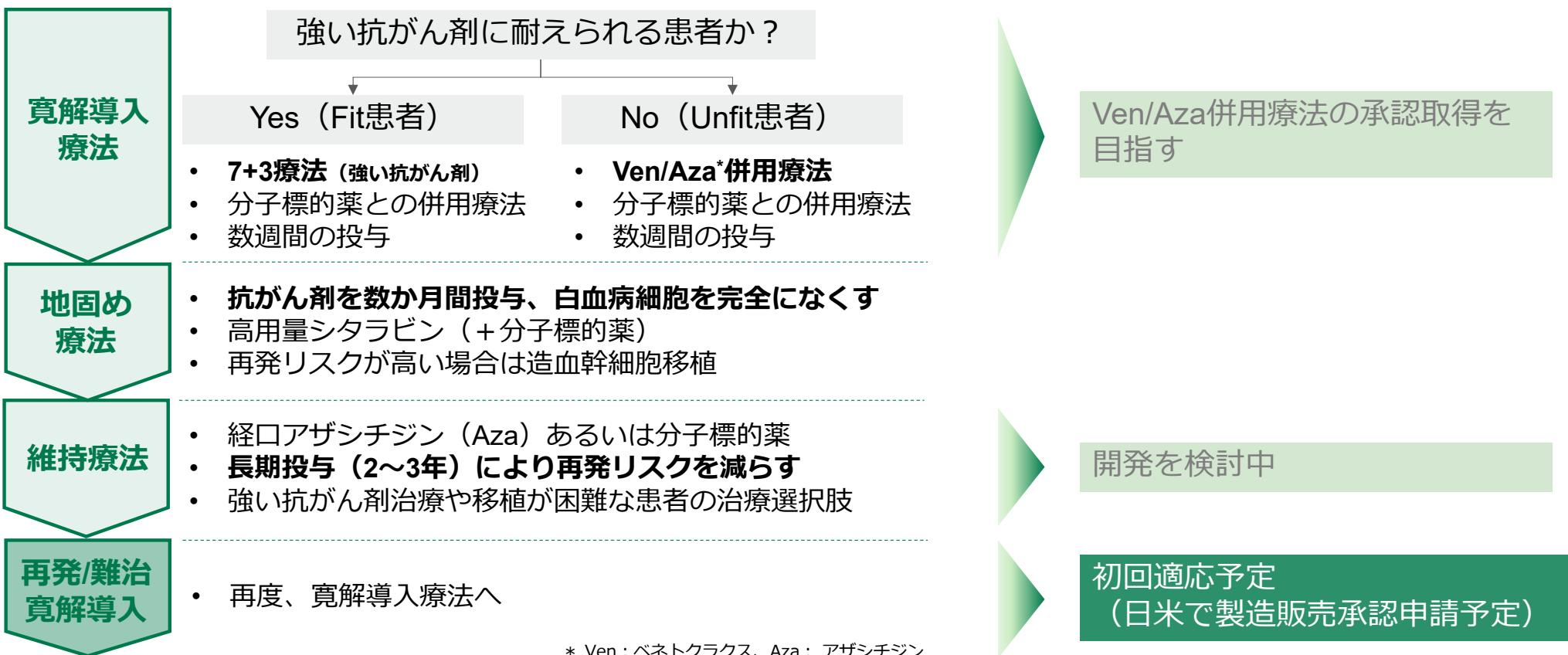


*1 Ven : ベネットクラクス、Aza : アザシチジン *2 自社における調査（2026年1月時点）

enzomenib

enzomenibの開発方針

- ✓ 再発/難治性AMLを対象とした単剤での適応取得を優先して推進
- ✓ 併せて初発AML患者を対象とした寛解導入療法・維持療法への展開も視野に入れ、適応拡大を目指す



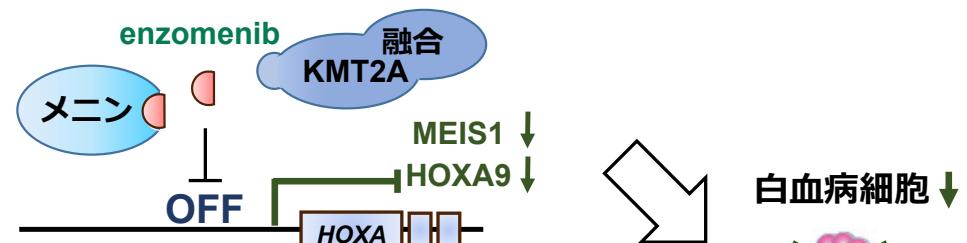
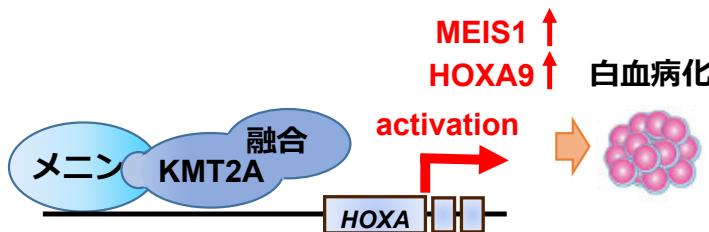
enzomenib

疾患メカニズムに基づいた明確な標的性

➤ KMT2A再構成型白血病

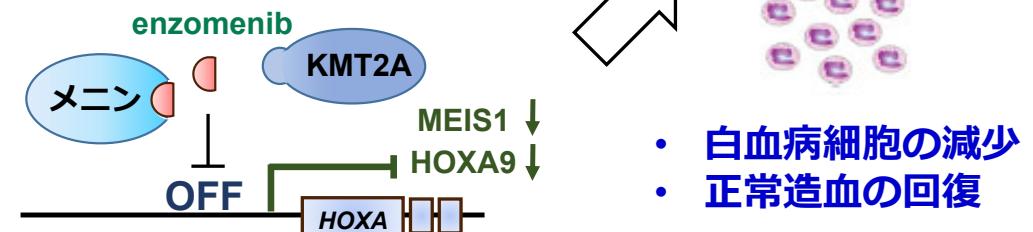
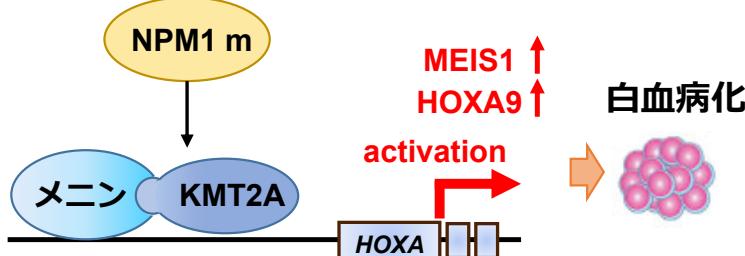
KMT2A融合蛋白はメニンとの結合を介しHOXA遺伝子などを発現亢進させることで白血病を発症させる

enzomenibはメニンとKMT2A融合蛋白の結合を阻害し、白血病細胞の異常転写プログラムを抑制することで抗白血病作用を示す

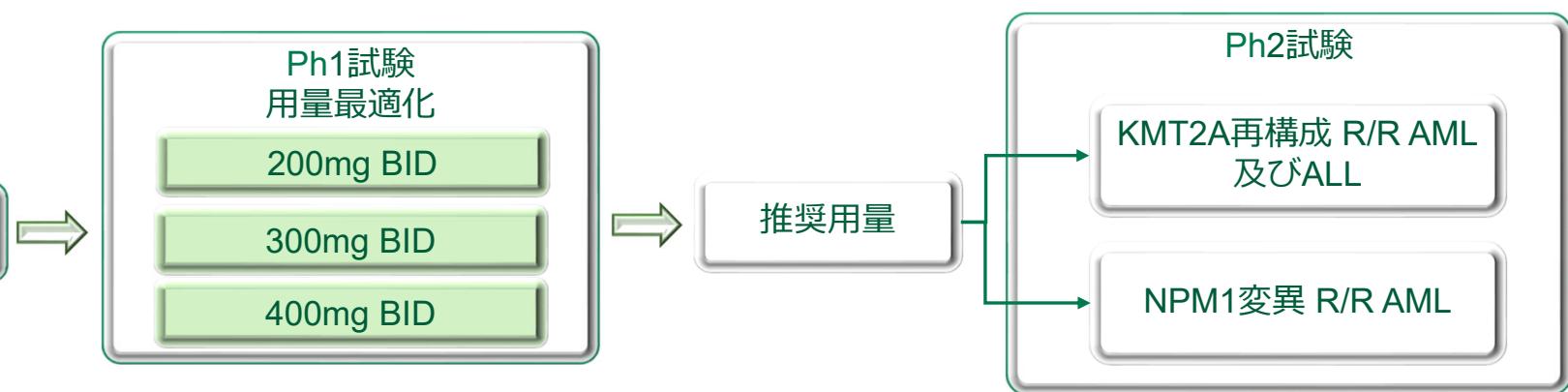


➤ NPM1変異型白血病

NPM1遺伝子変異を有するAMLでは、野生型KMT2Aとメニンの結合を介したHOXA遺伝子の発現亢進により白血病を発症する。enzomenibは野生型KMT2Aとメニンの結合を阻害し、白血病細胞の異常転写プログラムを抑制することで抗白血病作用を示す



■再発/難治性の急性白血病に対する単剤療法



BID : 1日2回投与
 R/R : 再発/難治
 AML : 急性骨髓性白血病
 ALL : 急性リンパ性白血病

CR : 完全寛解,
 CRh : 部分的血液学的回復を伴う寛解
 CRi : 不完全な血球回復を伴う寛解
 MLFS : 形態学的に白血病細胞がない状態
 CRc : CR又はCRh又はCRi
 ORR : CR又はCRh又はCRi又はMLFS
 OS : 全生存期間
 EFS : 無イベント生存期間

【主要評価項目】 CR+CRh率

【副次評価項目】 CRc、ORR、CR/CRh到達期間、
 ORR到達時間、CR/CRh持続期間、
 ORR持続期間、輸血非依存性、
 OS、EFS

安全性：単剤

単剤投与における忍容性を確認

- 用量制限毒性（DLT）や治療関連死・投与中止例は認められず、忍容性は良好

発現率が20%以上の有害事象 (n=116)

事象名	全てのグレード	グレード3以上
	HEMATOLOGIC	
発熱性好中球減少症	32 (27.6%)	31 (26.7%)
血小板数減少	26 (22.4%)	25 (21.6%)
好中球数減少	25 (21.6%)	24 (20.7%)
NON-HEMATOLOGIC		
悪心	46 (39.7%)	4 (3.4%)
嘔吐	32 (27.6%)	2 (1.7%)
下痢	30 (25.9%)	1 (0.9%)
敗血症	29 (25.0%)	28 (24.1%)
食欲減退	28 (24.1%)	4 (3.4%)
頭痛	28 (24.1%)	2 (1.7%)
低カリウム血症	27 (23.3%)	0

※QT延長は9.5% (グレード3は2.6%)

enzumenibと関連のある有害事象 (発現率が5%以上) n=116

事象名	全てのグレード	グレード3以上
	HEMATOLOGIC	
血小板数減少	9 (7.8%)	8 (6.9%)
好中球数減少	8 (6.9%)	8 (6.9%)
白血球增加症	7 (6.0%)	3 (2.6%)
NON-HEMATOLOGIC		
悪心	19 (16.4%)	1 (0.9%)
分化症候群	15 (12.9%)	9 (7.8%)
嘔吐	13 (11.2%)	1 (0.9%)
味覚不全	7 (6.0%)	0
下痢	6 (5.2%)	0

■有効性：単剤

単剤での有効性を確認

- ✓ KMT2A再構成型AML/ALL患者(300 mg BID) : CR+CRh率は40.0%、OS中央値:11.8か月
- ✓ NPM1変異型AML患者 : CR+CRh率は37.5-50.0%

KMT2A再構成		NPM1変異		
	300mg BID n=15	200mg BID n=10	300mg BID n=7	400mg BID n=8
Overall Response Rate (CR/CRh/CRi/MLFS)	73.3%	60%	57.1%	37.5%
Composite CR rate (CR/CRh/CRi)	60%	50%	42.9%	37.5%
CR+CRh rate	40%	50%	42.9%	37.5%
Median Time to CR/CRh	1.6カ月	Median Time to CR/CRh	3.7カ月	
Duration of CR/CRh	12.5カ月 (n=11)	Duration of CR/CRh	5.7カ月 (n=11)	
Median Overall Survival	11.8カ月	Median Overall Survival	8.5カ月	

BID : 1日2回投与
 CR: 完全寛解
 CRh: 部分的血液学的回復を伴う寛解
 CRi: 不完全な血球回復を伴う寛解
 MLFS: 形態学的に白血病細胞がない状態

■再発/難治性の急性骨髓性白血病に対するVen/Aza併用療法

Ph1試験

Part 1

Enzo 300mg BID n=14

Enzo 200mg BID n=7

Enzo 140mg BID n=4

アゾール併用可能

Aza

Ven

enzomenib

Week 1 Week 2 Week 3 Week 4

1サイクル

Part 2

Enzo 300mg BID n=15

アゾール併用可能

Aza

Ven

enzomenib

Week 1 Week 2 Week 3 Week 4

1サイクル

【主要評価項目】

安全性、容忍性、薬物動態など

【副次評価項目】

CRc、ORR、CR/CRh到達期間、ORR到達時間、
CR/CRh持続期間、ORR持続期間、
輸血非依存性、OS、EFSなど

Enzo : enzomenib Ven: ベネトクラクス Aza: アザシチジン

BID : 1日2回投与

CR: 完全寛解,

CRh: 部分的血液学的回復を伴う寛解

CRI: 不完全な血球回復を伴う寛解

MLFS: 形態学的に白血病細胞がない状態

ORR: CR又はCRh又はCRI又はMLFS

安全性：Ven/Aza併用

併用下での忍容性を確認

- ✓ DLTや治療関連死・投与中止に至るものは認められず、**安全性プロファイルは良好**

発現率が25%以上の有害事象 (n=40)

事象名	全てのグレード	グレード3以上
	HEMATOLOGIC	
血小板数減少	21 (52.5%)	18 (45.0%)
白血球数減少	15 (37.5%)	14 (35.0%)
好中球数減少	14 (35.0%)	14 (35.0%)
貧血	10 (25.0%)	8 (20.0%)
発熱性好中球減少症	10 (25.0%)	9 (22.5%)
NON-HEMATOLOGIC		
恶心	19 (47.5%)	0
便秘	16 (40.0%)	0
下痢	15 (37.5%)	0
高リン血症	11 (27.5%)	0
嘔吐	11 (27.5%)	1 (2.5%)
関節痛	10 (25.0%)	1 (2.5%)

再発/難治性の急性骨髓性白血病に対するVen/Aza併用療法

enzomenib/Ven/Azaのいずれかと関連のある有害事象
(発現率が15%以上) n=40

事象名	全てのグレード	グレード3以上
	HEMATOLOGIC	
血小板数減少	18 (45.0%)	16 (40.0%)
白血球数減少	14 (35.0%)	13 (32.5%)
好中球数減少	12 (30.0%)	12 (30.0%)
貧血	9 (22.5%)	7 (17.5%)
リンパ球減少症	6 (15.0%)	5 (12.5%)
NON-HEMATOLOGIC		
恶心	10 (25.0%)	0
下痢	8 (20.0%)	0
AST上昇	6 (15.0%)	0
便秘	6 (15.0%)	0

■有効性：Ven/Aza併用

再発/難治性の急性骨髓性白血病に対するVen/Aza併用療法

再発/難治性AMLに対して良好な併用効果を確認

- ✓ 再発/難治性AMLでのORRは77%、Composite CR rateは50%と高い奏効率
- ✓ 用量群間で概ね一貫した効果が得られており、併用の有望性を示唆

全体集団	140mg BID + Ven/Aza 100mg n=4	200mg BID + Ven/Aza 100mg n=6	300mg BID + Ven/Aza 100mg n=8	300mg BID + Ven/Aza 50-100mg n=8	合計 n=26
	アズール非併用	アズール非併用	アズール非併用	アズール併用	
Overall Response Rate (CR/CRh/CRi/MLFS)	100%	83%	62.5%	80%	77%
Composite CR rate (CR/CRh/CRi)	50%	50%	50%	50%	50%

BID : 1日2回投与
 CR : 完全寛解,
 CRh : 部分的血液学的回復を伴う寛解
 CRi : 不完全な血球回復を伴う寛解,
 MLFS : 形態学的に白血病細胞がない状態

■選択的メニン阻害剤としてベストインクラスを目指すポテンシャル

- 急性白血病領域では、遺伝子変異に応じた治療薬が順次承認されているものの、依然として治療満足度は十分ではない
- **enzomenib**は、**単剤での有効性・忍容性に加え、Ven/Aza併用での良好な有効性と安全性が確認されており、ベストインクラスとなる可能性が示唆されている**
- 現在実施中の**検証的Ph2試験を加速し、KMT2A再構成またはNPM1変異を有する再発/難治性急性白血病**を対象とした日米での承認取得（上市目標：2027年度）を目指す
- また、単剤およびVen/Aza併用で得られた安全性・有効性プロファイルを生かし、**初発急性白血病（寛解導入療法、維持療法）への適応拡大**や、**急性白血病以外の疾患領域への展開**など、さらなる開発機会を追求していく

nuvisertib

作用機序	PIM1キナーゼ阻害
開発段階	フェーズ1/2
予定適応症	骨髓線維症 (MF)

PIM: Proto-oncogene proviral Integration site for Moloney murine leukemia virus

骨髓線維症（MF）の疾患背景

- 造血幹細胞の遺伝子変異により骨髓が線維化し、正常造血が阻害される血液がん
- 肝脾腫・全身倦怠感・骨痛・貧血・感染症など、**生活の質を大きく低下させる症状が進行性に出現**
- 多くの患者が貧血により定期的な輸血を必要とし、**高頻度で再発/難治性に進展する**

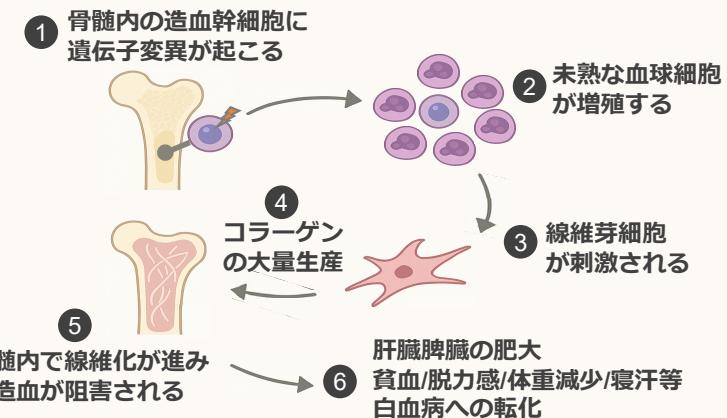
病態・症状

異常な造血幹細胞の増殖により、骨髓が線維化する血液がんの1種。正常の造血が行われず、肝臓や脾臓で髄外造血が起きる

- 肝脾腫
- 寝汗、倦怠感、骨痛などの全身症状
- 中等度から重度の貧血、出血、易感染症
- 約20%の患者は診断時に無症状

予後・転帰

- 貧血のために**定期的な輸血**が必要となる
- 高頻度で再発/難治性に進展**
- 白血病に移行することも
- 診断後の予後は米国：4-6年、日本：3-6年



米国



日本

新規患者数/年*

約2,200人/年

約600人/年

* Global Data Epidemiology Database (2026)から概算

治療選択肢とアンメットメディカルニーズ

現在の標準治療はJAK阻害剤を中心

しかし、**血小板数の少ない患者では使用可能な薬剤が限定**、病態進行により**2L/3Lへ移行**してしまう
根本的治療は骨髄移植のみであり、**新しい作用機序を持つ治療薬が強く求められている**



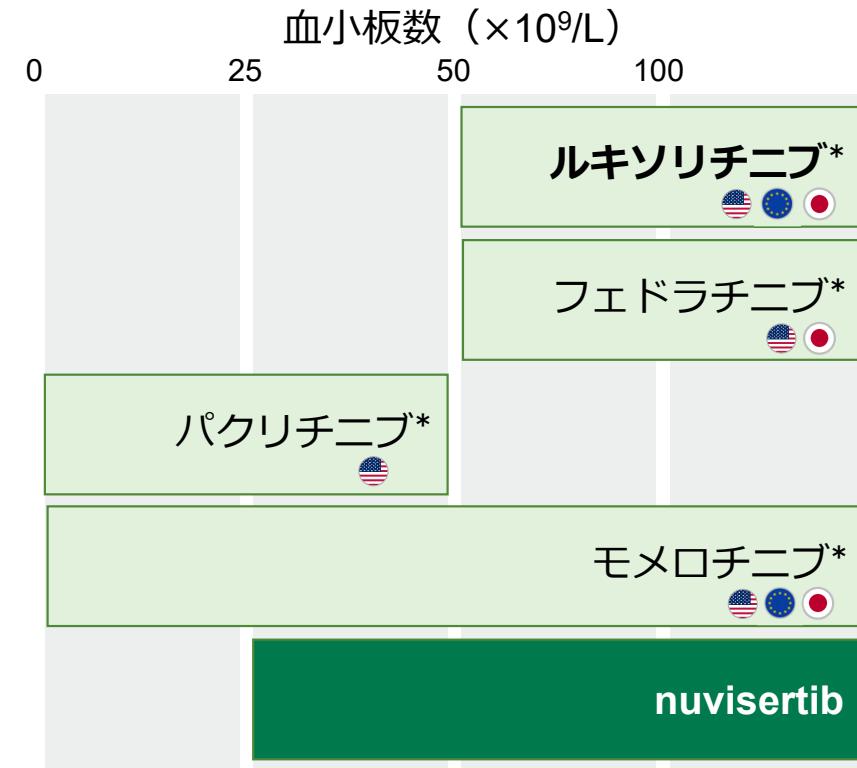
- ルキソリチニブ（JAK阻害剤）が最もよく使われる
- 血小板数が少ない患者は使用可能な薬剤が制限
- 投薬期間は約12か月
- 年齢や臓器機能が良好な患者では骨髄移植（根治療法）も検討される



- ～50%の1L患者が2Lへ移行（1次治療の効果不十分、病態の進行）
- 1Lとは別のJAK阻害剤あるいは治験薬
- 投薬期間は6～9か月
- 薬剤治療が無効または効果不十分な場合や高リスクの遺伝子変異をもつ患者は骨髄移植が検討される



- ～23%の2L患者が3Lへ移行
- 投薬期間は～10か月
- 症状が悪化し、薬剤療法が効かない場合は支持療法（輸血、栄養管理、感染予防）で生活の質を維持



* 上市済みのJAK阻害剤。モメロチニブは2023年にUS, EU、2024年に日本で承認

nuvisertib

nuvisertibの特徴

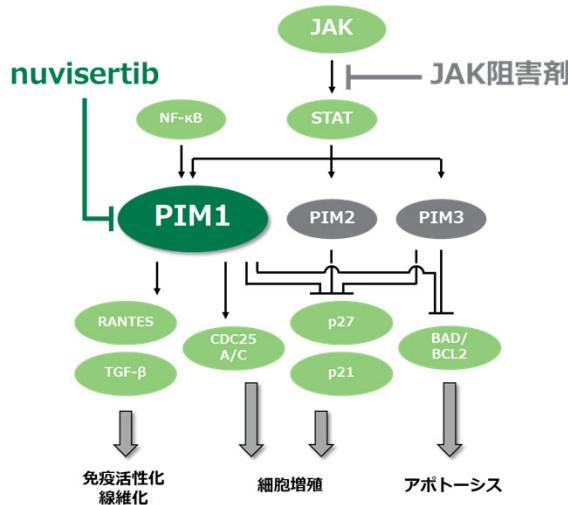
■ 作用機序と薬剤コンセプト：

- nuvisertibは、PIM1キナーゼを阻害し、JAK/STATに加え、MFの病態形成に関わるNF-Kbなど複数経路に作用。
- 非臨床モデルでは、脾臓縮小、骨髓線維化改善、生存期間延長など有望な結果を確認

■ ユニークポイント

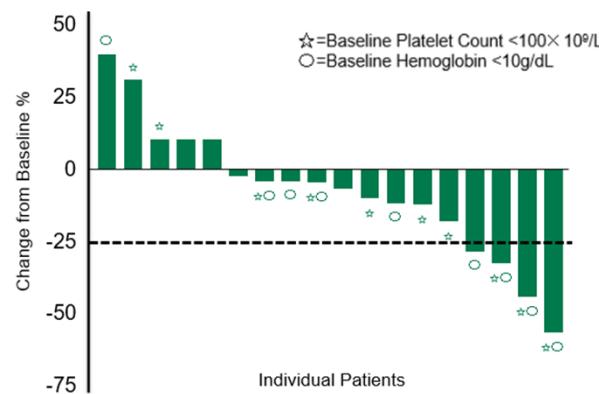
- JAK阻害剤とは異なる作用経路を持ち、併用療法としての潜在性が高い
- PIM1に対する選択性が高く、血液毒性リスクの低減が期待される
- Ph1/2試験では、単剤においても脾臓縮小や全身症状スコア（TSS）の改善が確認されている

薬剤コンセプト：PIM1阻害剤

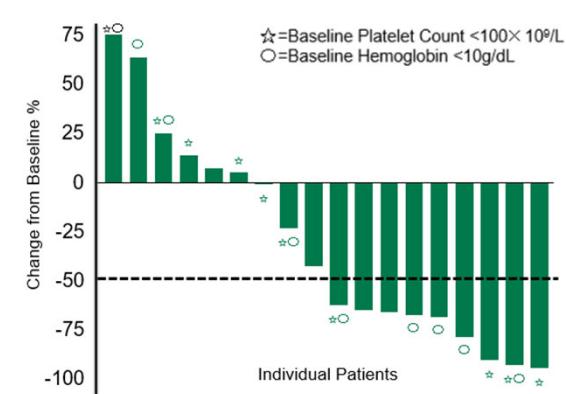


单剤による脾臓縮小および全身症状スコア（TSS）改善（ASH2025）

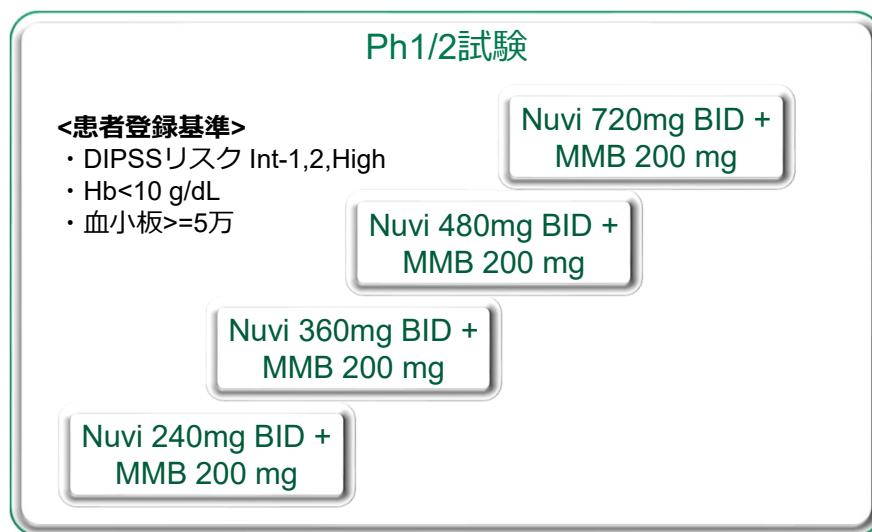
Best Changes in Spleen Volume at Any Time (n=20)
720mg BID SVR25: 20% (4/20)



Best Changes in TSS at Any Time (n=20)
720mg BID TSS50: 9/20 (45%)



■再発/難治性の骨髓線維症に対するモメロチニブ併用療法



【主要評価項目】 安全性、忍容性

【副次評価項目】 脾臓縮小効果
全身症状スコア
全生存期間
骨髓線維化スコア
薬物動態

Nuvi : nuvisertib

MMB : モメロチニブ

BID : 1日2回投与

DIPSS : Dynamic International Prognostic Scoring System、骨髓線維症の予後を動的に評価する国際スコア

Int-1 : Intermediate-1 (中間リスク1) Int-2 : Intermediate-2 (中間リスク2) High : High risk (高リスク)

Hb : ヘモグロビン

■ 安全性：モメロチニブ併用

併用下での忍容性を確認

- ✓ 安全性評価対象18例のうち、DLTは360mg BIDで1例のみ（輸血を伴う血小板減少）
- ✓ 全体として、モメロチニブとの併用は概ね良好な忍容性を期待
- ✓ 主な有害事象はGrade1-2の消化器症状（下痢、恶心、嘔吐等）で管理可能

用量制限毒性の発現状況 (n=18)

nuvisertib + モメロチニブ 200mg 1日1回	n=18	用量制限毒性
240mg BID	4	0
360mg BID	8	1 (血小板数減少)
480mg BID	5	0
720mg BID	1	0

BID : 1日2回投与

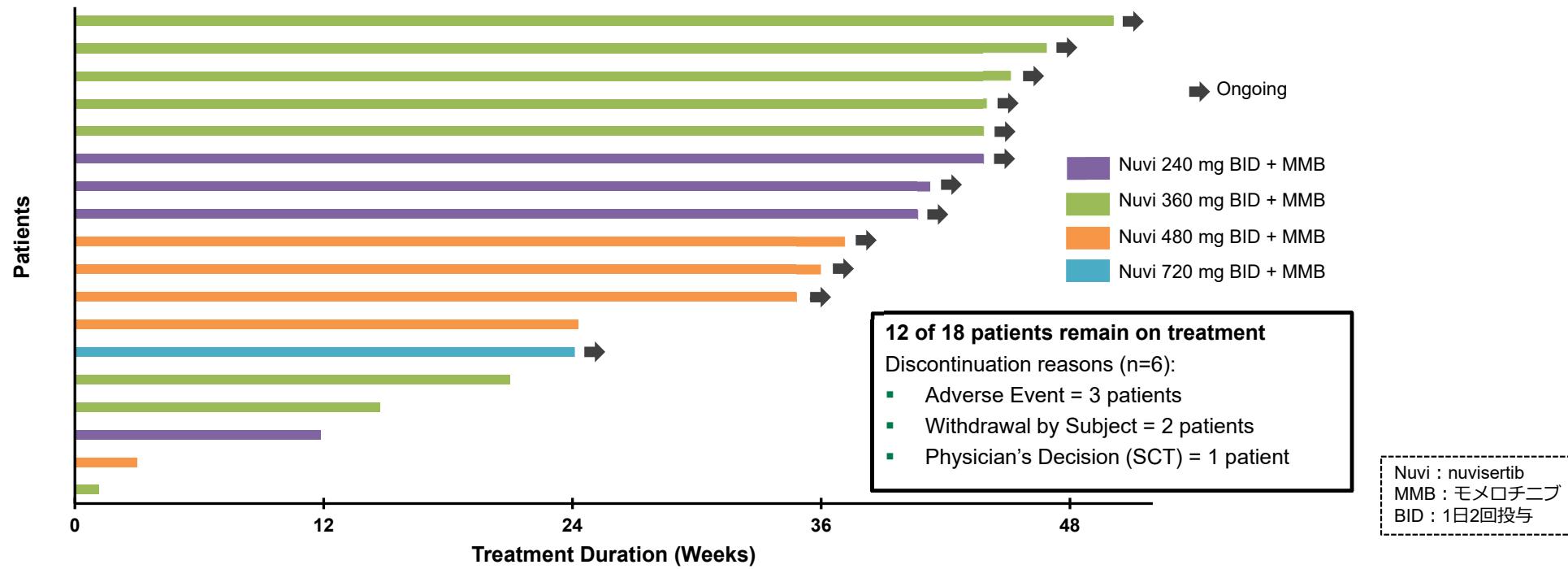
発現率が20%以上の有害事象 (n=18)

事象名	グレード1	グレード2	グレード3
下痢	10 (55.6%)	4 (22.2%)	0
恶心	7 (38.9%)	2 (11.1%)	1 (5.6%)
嘔吐	3 (16.7%)	2 (11.1%)	1 (5.6%)
疲労	0	4 (22.2%)	0
血中クレアチニン増加	2 (11.1%)	2 (11.1%)	0
食欲減退	1 (5.6%)	3 (16.7%)	0
尿路感染症	0	4 (22.2%)	0
血小板数減少	0	2 (11.1%)	2 (11.1%)

■ 安全性：モメロチニブ併用

併用下での長期安全性を確認

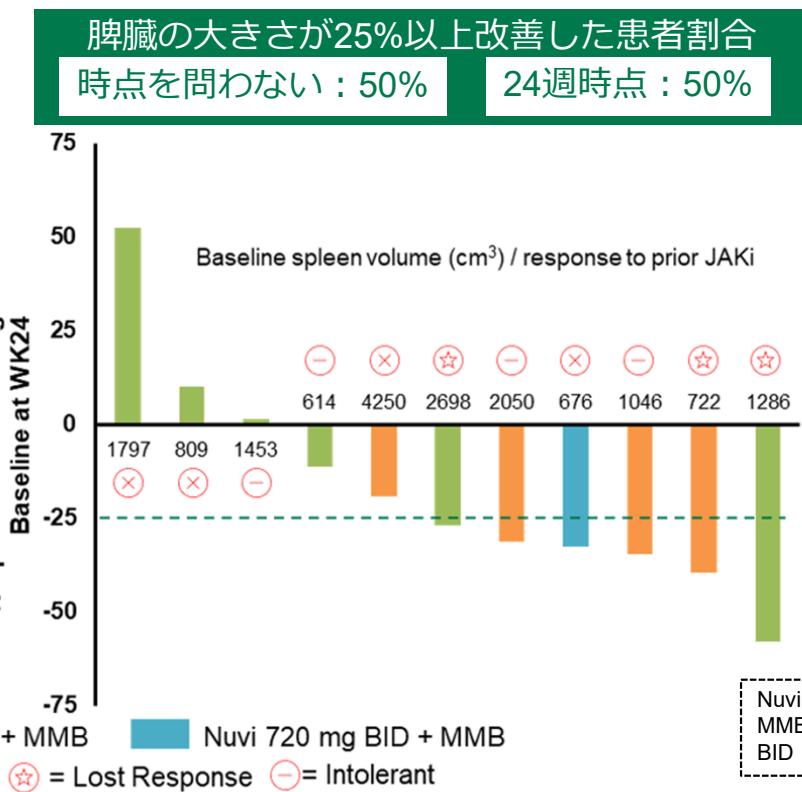
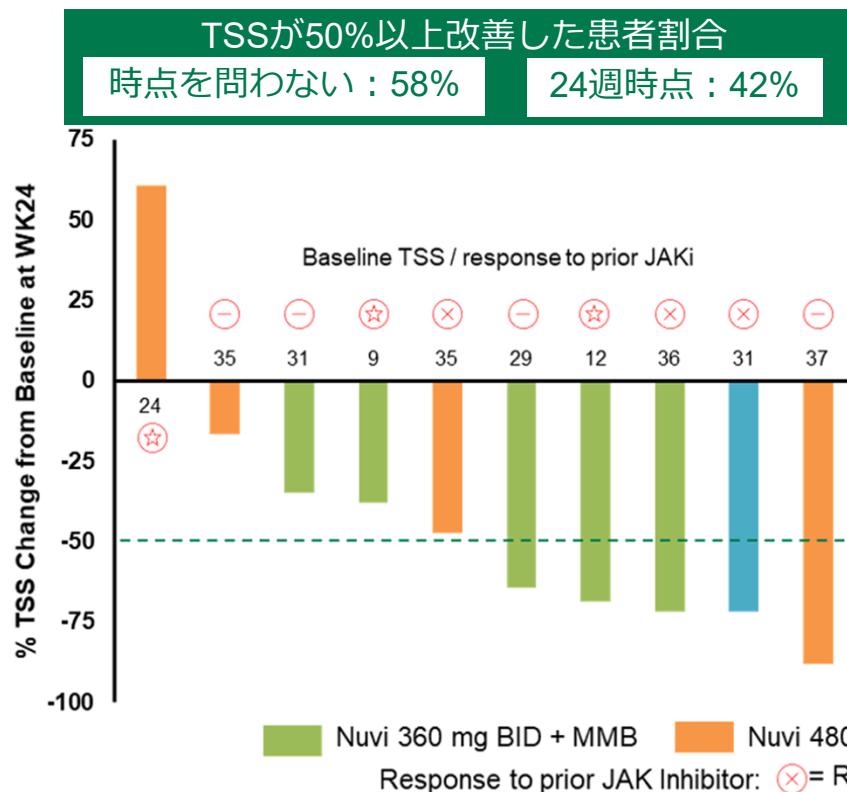
- ✓ 24週時までの治療中止率は28%で、モメロチニブ単剤のPh3試験と同水準
- ✓ 安全性に起因する中止率の増加は認められず、**長期併用が可能な安全性プロファイル**を示した



■有効性：モメロチニブ併用

全身症状スコア（TSS）および脾臓容積の改善を確認

- ✓ JAK阻害剤に反応しなかった患者や貧血を有するリスクの高い患者でも、TSSと脾臓容積の両方で改善を確認



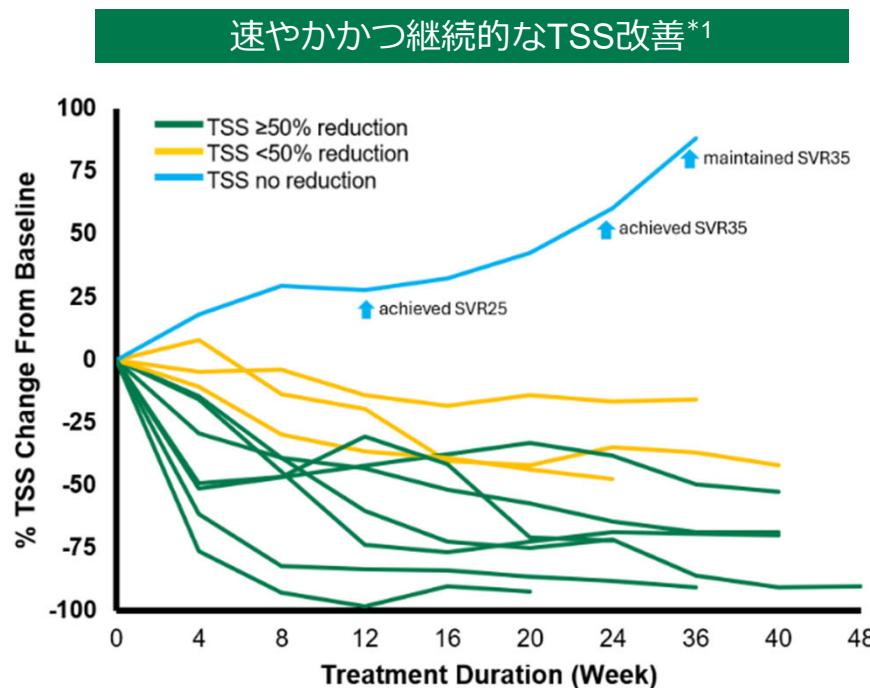
Nuvi : nuvisertib
MMB : モメロチニブ
BID : 1日2回投与

※有効性評価症例（360 mg BID以上を投与した24週以上経過もしくは治験薬による有害事象または病勢進行により中止した患者12名）

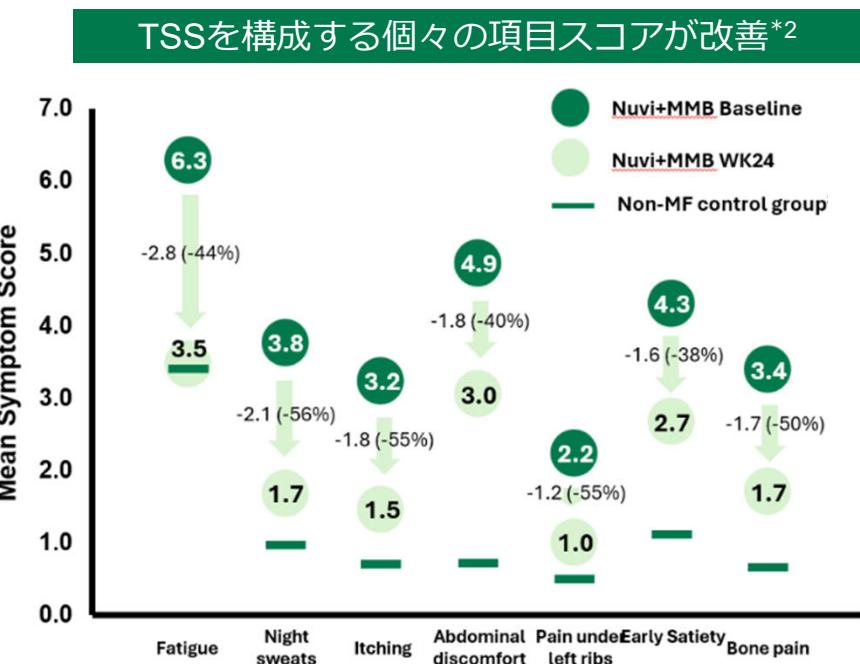
■有効性：モメロチニブ併用

投与初期からの持続的なTSSの改善を確認

- ✓ 投与開始4週時点からTSSの改善が見られ、効果は長期的に持続
- ✓ 特に疲労スコアは顕著に改善し、健常人レベルに近い改善を示す症例も確認



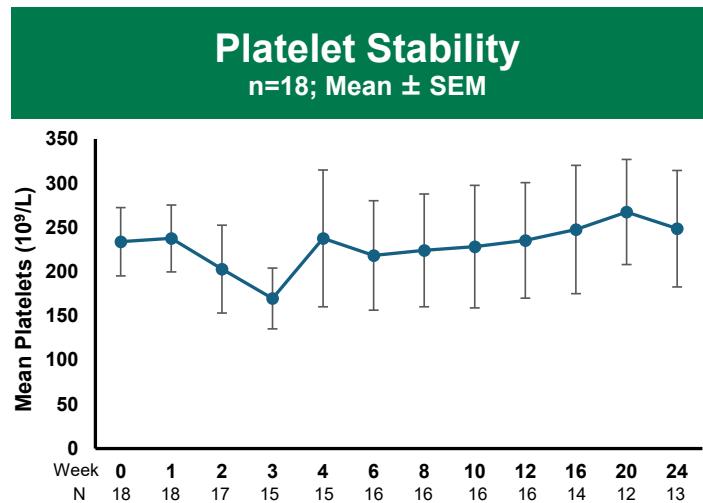
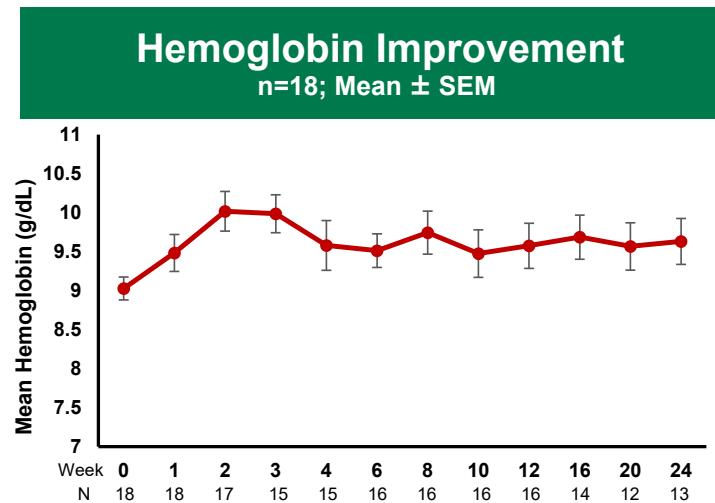
*1 有効性評価症例：360 mg BID以上を投与した24週以上経過もしくは治験薬による有害事象または病勢進行により中止した患者12名



*2 評価対象患者：ベースラインおよび24週時点の症状データの両方が揃っている患者10名（評価可能用量 = nuvisertib 360 mg を1日2回以上 + momelotinib 200 mg を1日1回）

■ モメロチニブ併用下で貧血改善効果を確認

- ✓ ヘモグロビン値および血小板数はnuvisertibとモメロチニブ併用時においても安定した推移を示した
- ✓ 評価対象16名中9名（56%）で貧血の改善を確認
 - ✓ Major Response 3名（輸血なしで12週以上、Hbが $\geq 1.5\text{ g/dL}$ 以上改善）
 - ✓ Minor Response 6名（輸血依存例：輸血頻度が50%以上減少、輸血非依存例：12週以上輸血なしでHbが $\geq 1.0\text{ g/dL}$ 以上改善）
- ✓ JAK阻害剤治療歴を有する患者や、貧血リスクの高い患者層においても改善効果が認められ、nuvisertibの併用療法としての有望性を示唆する結果となつた



nuvisertib

■PIM1阻害剤のファーストインクラスとなるポテンシャル

- JAK阻害剤が標準治療となるMFにおいて、**異なる作用機序を有する治療選択肢は極めて限定的**
- nuvisertib は、
 - **単剤およびモメロチニブ併用で忍容性・有効性を確認**
 - JAK阻害剤治療歴がある患者でも効果を示す
- これらのデータを踏まえ、**承認申請の根拠とする検証的なP3試験を2026年度中に開始予定（上市目標：2028年度）**
- さらに、MF以外の疾患領域への展開を視野に、**新規作用機序としての価値最大化を図る**

■がん領域の拡大戦略

- ✓ 自社製品・パイプライン・技術基盤を活用、**パイプライン強化と次世代薬剤創出の双方を推進**
- ✓ 加えて、新規標的・技術基盤の探索を継続し、**持続的な成長を実現する研究開発体制を構築する**

自社製品を活かす

ORGOVYX®を起点とした次世代薬剤創出

前立腺がん領域の連続性強化

Tier
01

自社パイプラインを活かす

enzumenib・nuvisertibの適応取得・適応拡大

造血器腫瘍パイプラインの拡充

Tier
02

自社技術基盤（Liposomal Nanomedicine）を活かす

SMP-3124の開発推進

- ・技術基盤の検証
- ・内包化合物の標的の検証

「技術基盤」「標的」両面からの展開

Tier
03

