

Corporate Presentation

事業計画及び成長可能性に関する事項

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。

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す。

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。

なお、当資料のアップデートは今後、株主総会後の3月末を目途として開示を行う予定です。また、年次のアップデートを基本方針としますが、パイプラインの進捗等、重要と思われる事象が発生した場合には適宜更新を行います。

「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 当社事業の概略
- 2 製薬産業の全体像
- 3 収益構造と2021年12月期連結業績
- 4 ビジネスハイライト
- 5 内部成長戦略
- 6 外部成長戦略
- 7 事業目標
- 8 認識するリスクおよび対応策
- 9 参考資料

(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。投資を行なうに際しては、投資家ご自身の判断で行なうようお願いいたします。



1

当社事業の概略

そーせいグループの沿革

国内開発の進展と海外企業の買収で成長する、日本発のバイオベンチャー

CEO田村により設立



英国のバイオ医薬品企業
アラキス社を買収し、COPD
治療薬をパイプラインに追加



1990

2004

2005

2015

現在



東京証券取引所マザーズに上場
(証券コード:4565)




GPCR創薬にフォーカスした
英国のバイオ医薬品企業
ヘプタレス社を買収


マネジメントチーム


製薬産業における豊富な経験を有する経営陣


取締役

 **田村 眞一**
取締役会会長
Genentech Fujisawa


 **クリス・カーギル**
取締役 代表執行役社長CEO
KPMG J.P.Morgan

 **遠山 友寛**
独立社外取締役
JM ASSOCIATES

 **加賀 邦明**
独立社外取締役
Mitsubishi Chemical Holdings LSII

 **Dr. デビッド・ロブリン**
独立社外取締役
Bayer Pfizer Summit JUVENTESCENCE

 **永井 智亮**
独立社外取締役
NOMURA Doshisha University

 **ロルフ・ソダストロム**
独立社外取締役
BTG COBHAM Cable & Wireless M pwc BIOPHARMA Syncona


 **関 美和**
独立社外取締役
MPOWER Morgan Stanley CLAY FINLAY INC. SMITH BARNEY


執行役


 **クリス・カーギル**
代表執行役社長CEO
KPMG J.P.Morgan

 **野村 広之進**
執行役CFO
Mitsubishi Research Institute MIZUHO


 **キーラン・ジョンソン**
執行役CAO (Chief Accounting Officer)
KPMG gsk


 **吉住 和彦**
執行役CCO (Chief Compliance Officer)
NEC


 **Dr. マット・バーンズ**
執行役 Heptares Therapeutics Ltd. 社長
Takeda CELLTECH


 **安井 忠良**
執行役 株式会社そせい代表取締役社長
NOVARTIS JT


シニアマネジメント


 **Dr. マイルス・コングレブ**
チーフ・サイエンティフィック・オフィサー
gsk astex


 **Dr. ロブ・クック**
チーフ・テクノロジー・オフィサー
gsk

 **ジェイムス・テイラー**
チーフ・ビジネス・オフィサー
gsk Summit Therapeutics cellzome AstraZeneca

 **Dr. バリー・ケニー**
シニア・ビジネス・アドバイザー
Pfizer PARADIGM THERAPEUTICS Takeda BioFocus

 **Dr. マーカス・メッセンジャー**
事業開発部門 ヴァイス・プレジデント
Lilly teva PROXIMAGEN

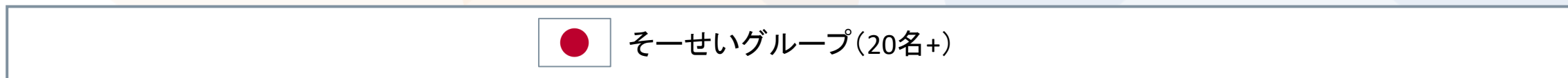
 **Dr. アラスター・ブラウン**
トランスレーショナル・サイエンス部門
ヴァイス・プレジデント
NOVARTIS AstraZeneca

 **デビッド・ハウ**
非中枢神経系開発・実験医学部門
ヴァイス・プレジデント
gsk Pfizer MedImmune TopiVert

新規

日本と英国に拠点を持つバイオベンチャー

特に2015年に買収したヘプタレス社により成長を加速




ヘプタレス社

GPCR中心の創薬に特化

 150+ 従業員数	 340+ 構造解析数	 +15 提携契約	 +700M 提携による収益 ¹	 +7Bn ディール総額 ²
----------------------------------------------------------------------------------------------------------	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------	---------------------------------------------------------------------------------------------------------	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

自社で前臨床～臨床試験(第I相)まで進めた後にパートナーに導出


(株)そーせい

国内での開発・販売に特化

 15+ 従業員数	 2-3 開発可能数/年	 2 承認実績
-----------------------------------------------------------------------------------------------------------	--------------------------------------------------------------------------------------------------------------	---------------------------------------------------------------------------------------------------------

開発品を導入し日本で後期開発

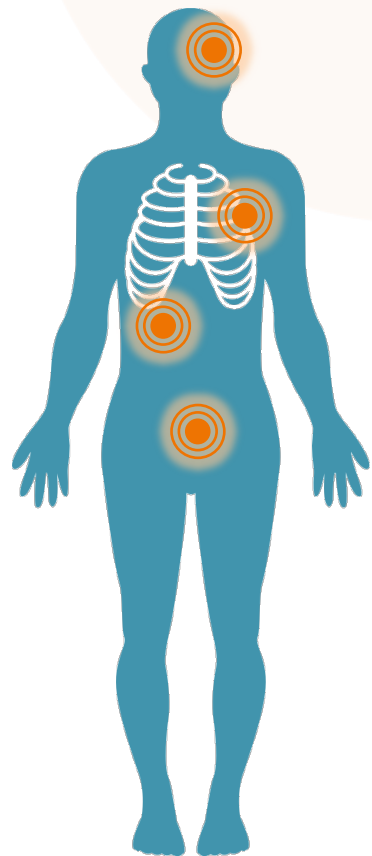
¹2005年から2020年の間に締結したすべての提携契約(既に終了している契約を含む)において受領した一時金、マイルストーン、ロイヤリティ、研究資金を含む。

²2005年から2020年までの(終了・活動停止中の提携を含む)すべての提携が対象。

出所: 当社作成

GPCR (Gタンパク質共役受容体)とは何か？

現在までの創薬の歴史で最も巨大な創薬ターゲット群だが、未だに多くが未開拓



約400種類
GPCR
タンパク質

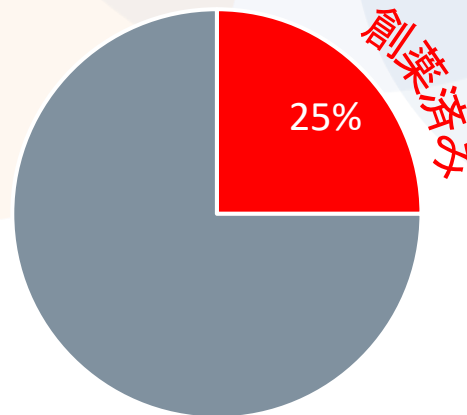
神経系

消化器系

がん免疫

希少/特殊

これまで

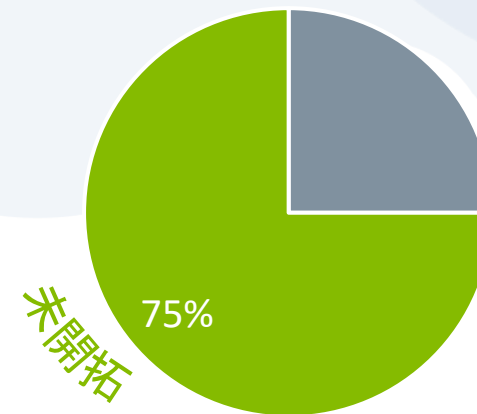


GPCRを標的としたブロックバスターの例



2018年に約20兆円の売上高*

これから



ファースト・イン・クラスのブロックバスターを狙う

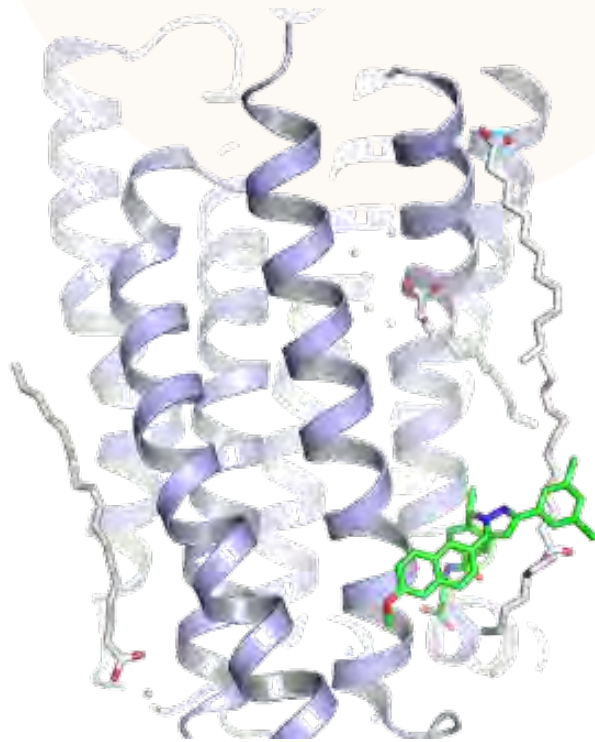


*Pharmacogenomics of GPCR Drug Targets

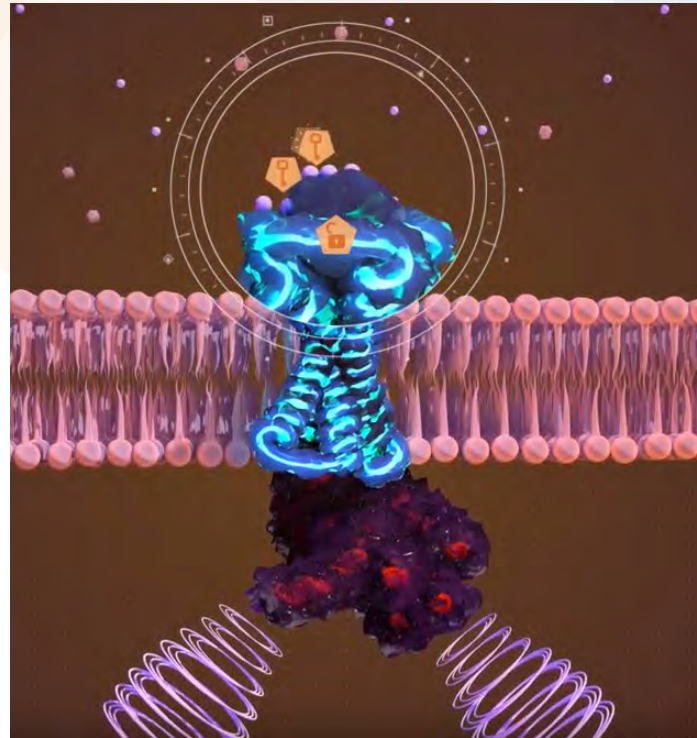
出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016; "Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews, 2017;等より当社作成

StaR[®] 技術*がより高度なGPCR創薬を実現

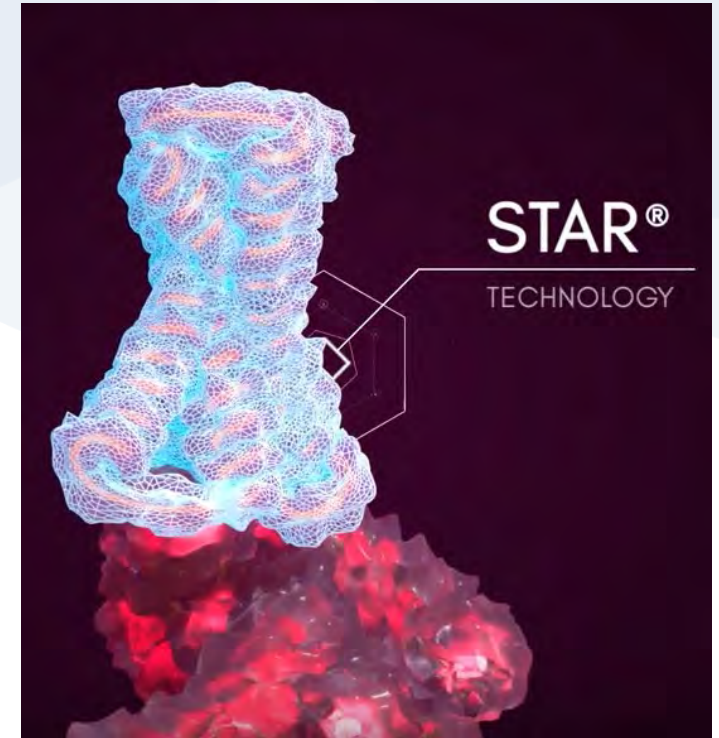
GPCRの構造を知ることで、より優れた高度な創薬が可能に



GPCRは複数の疾患領域に関わっており、幅広い治療の可能性



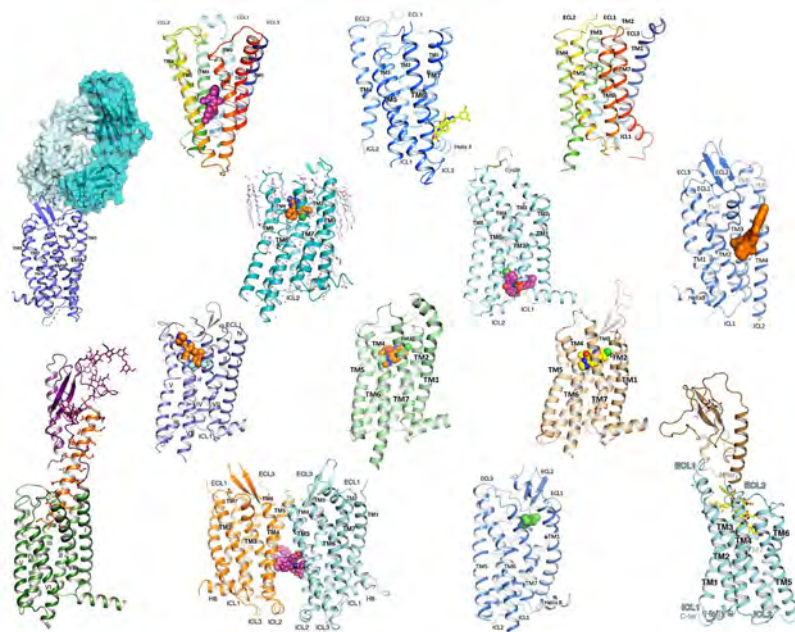
しかし、GPCRの構造が不安定であるという性質から創薬が困難



商用規模でGPCRを安定化し、創薬および初期開発に活用

*Stabilized receptor technology (タンパク質安定化技術)
出所: 当社作成

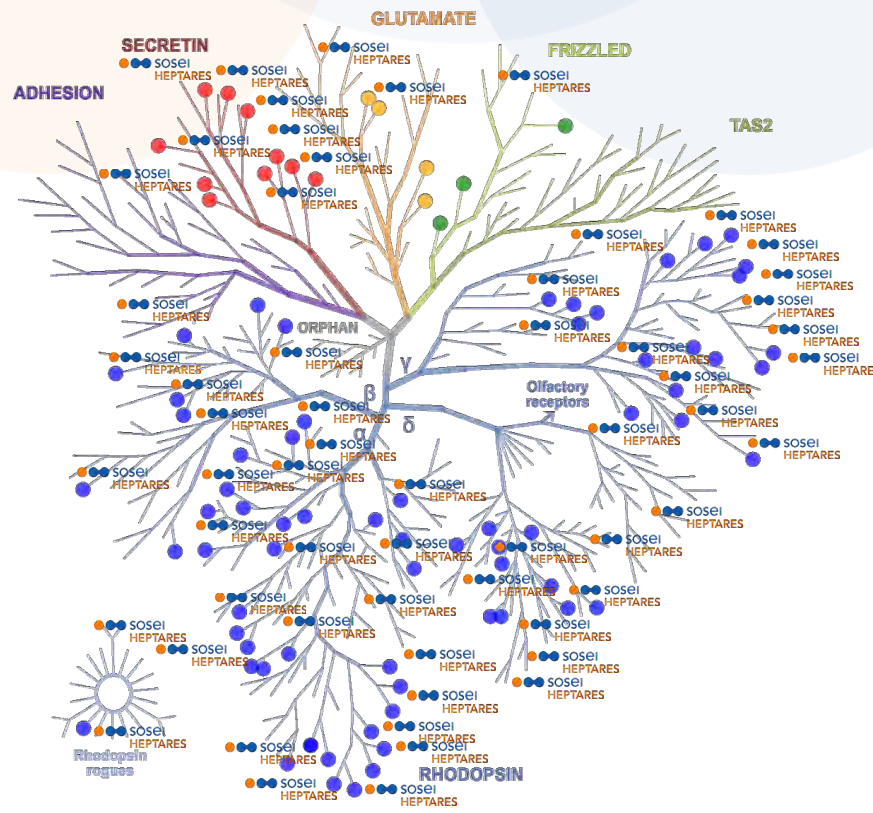
40以上の異なるGPCR創薬ターゲットから、340超の高解像度構造を解明し、GPCRにおける専門性を継続的に強化



40以上の異なる受容体において
340超の構造を解明
70超のStaRタンパク質を創製

平均解像度は世界平均より高い2.5Å
—これまでで最高の解像度

多数残る未開拓のGPCRターゲットに対してStaR®技術が創薬の可能性を拓く
この先も創薬のチャンスが続く



約400
GPCR ターゲット

約75%
未創薬

拮抗薬/作動薬

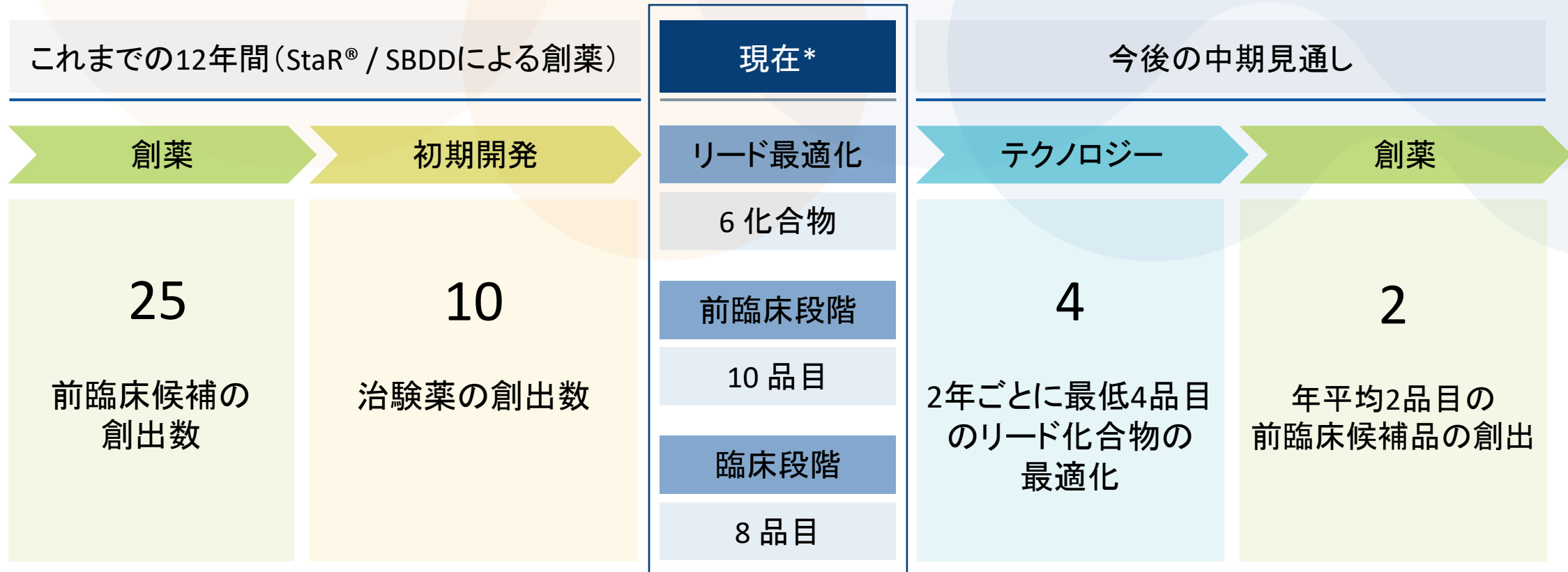
低分子/抗体/ペプチド

広範な疾患領域

出所: "Unexplored opportunities in the druggable human genome", Nature Reviews, 2016;
"Trends in GPCR in Drug Discovery – new agents, targets and indications", Nature Reviews,
2017; Management analyses

● Protein Data Bank で構造が公開されている受容体 ● sosei HEPTARES 当社がStaR®を創製した受容体

当社のStaR[®]技術とSBDDプラットフォームにより、 高い生産性で高品質の治療薬候補が生まれている

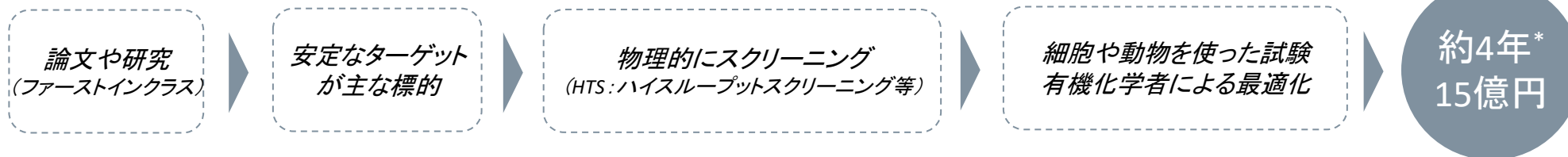
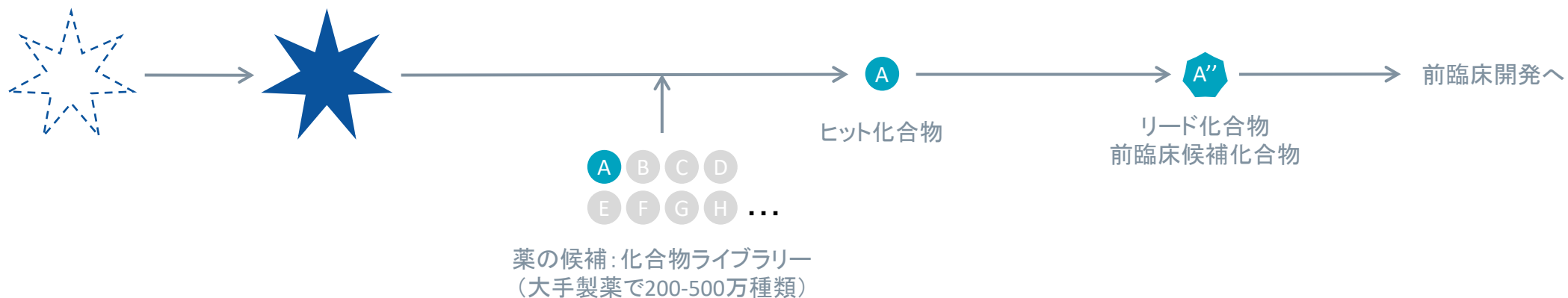
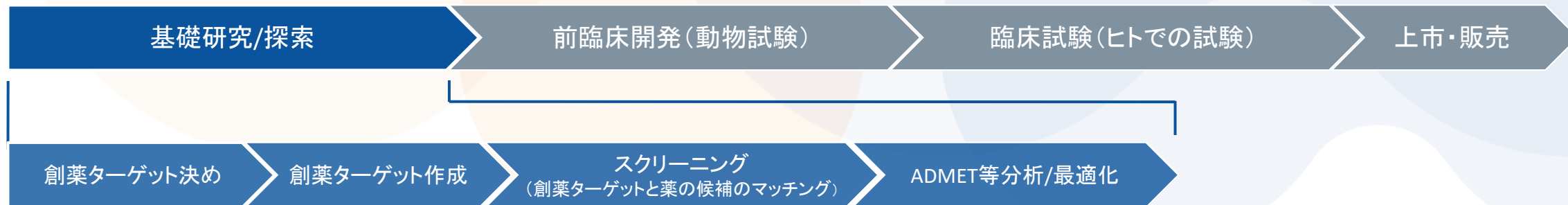


過去12年において、世界で最も生産的な創薬チームのひとつ

*5つのプログラム(1x 第I相, 2x 前臨床, 2x 創薬)についてはアカデミアまたは製薬企業等との提携を目指します。詳細はこちらをご覧ください: <https://soseiheptares.com/other-programs-for-partnering>
 (注) 2022年2月25日にバイオヘイブン社が発表したBHV3100のPh1試験中止およびバックアップの開発への切り替えを反映

そもそも薬はどうやって見つけるのか？

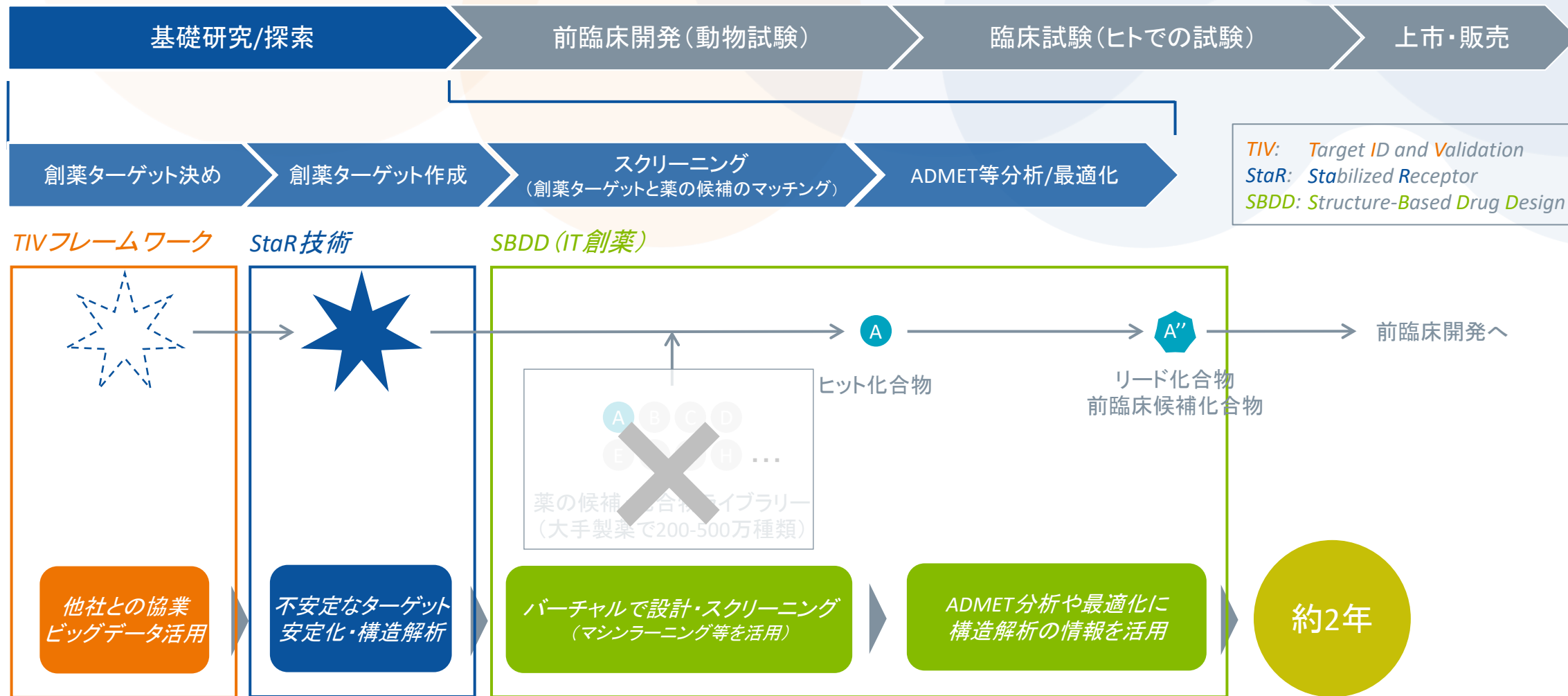
低分子を例にした伝統的な創薬には、4年間に亘り15億円程度が必要



*NATURE REVIEWS Drug Discovery(MARCH 2010)
出所: 当社作成

当社はどうやって薬を見つけているのか？

StaR技術による構造解析をコアに、多くの創薬プロセスをITにより効率化



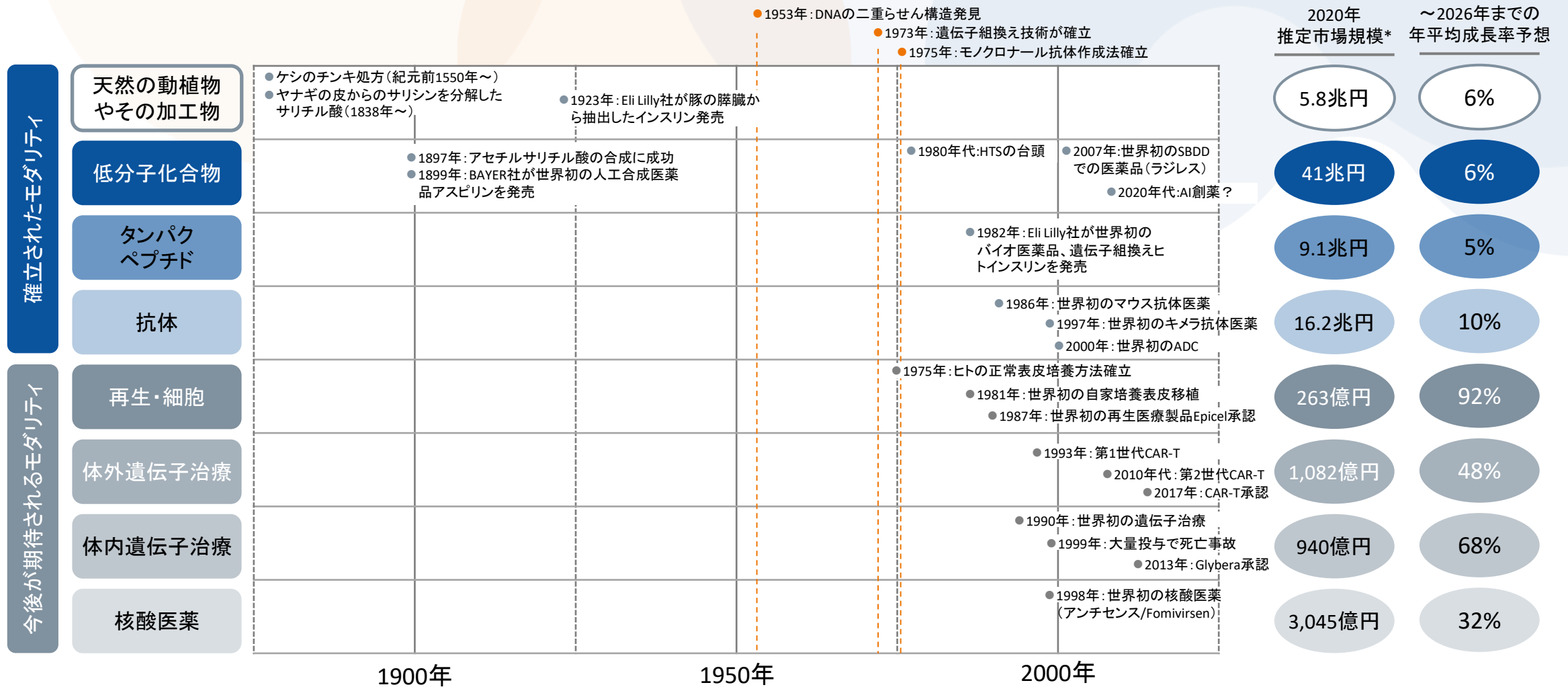


2

製薬産業の全体像

主なモダリティにおける創薬の歴史

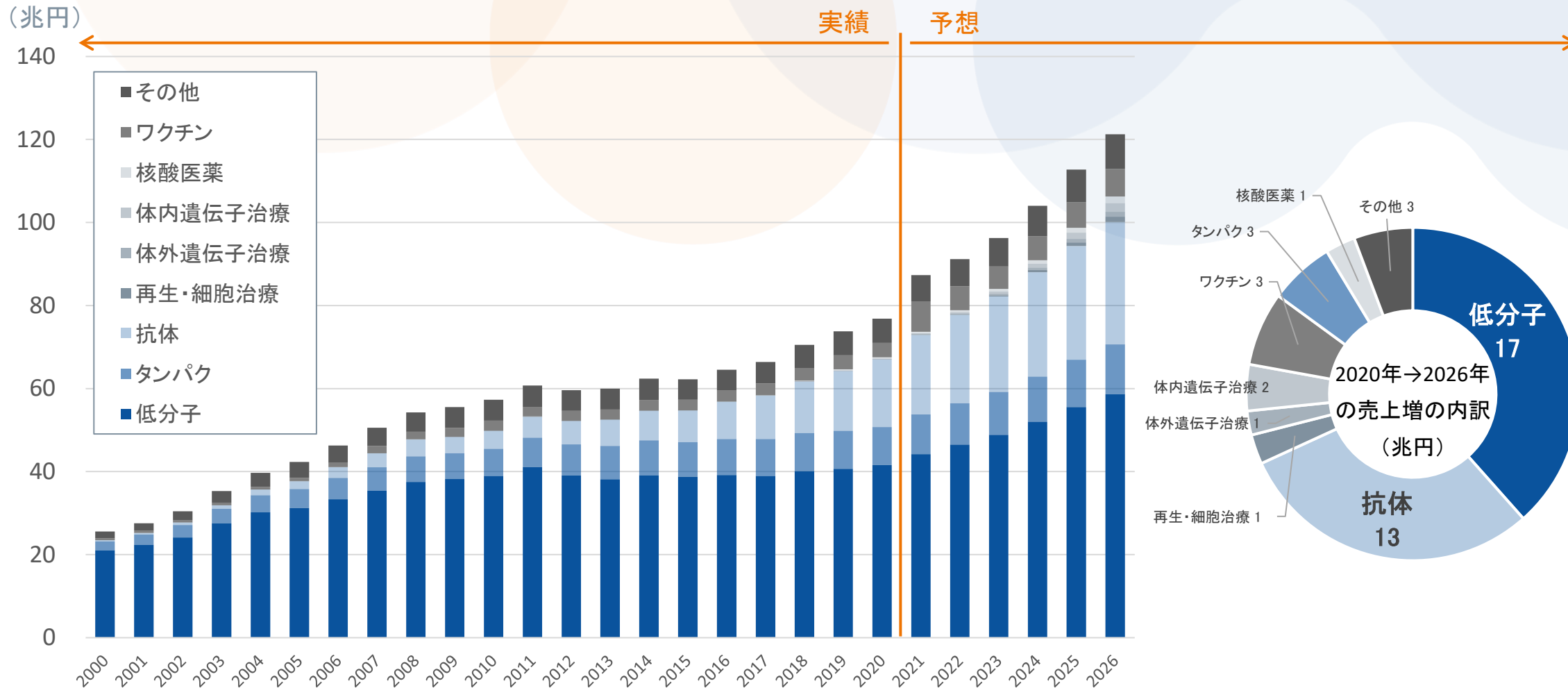
低分子は医薬品産業で最も規模が大きく、確立された創薬モダリティ



*推定市場規模は個別の製品売上高の積算で算出され、製品売上高が公開されていない製品は含まれないため、実際の市場規模よりも小さい可能性がある点に留意
出所: Evaluate Pharma等より当社作成

“モダリティ”別の医薬品売上高の実績と予想

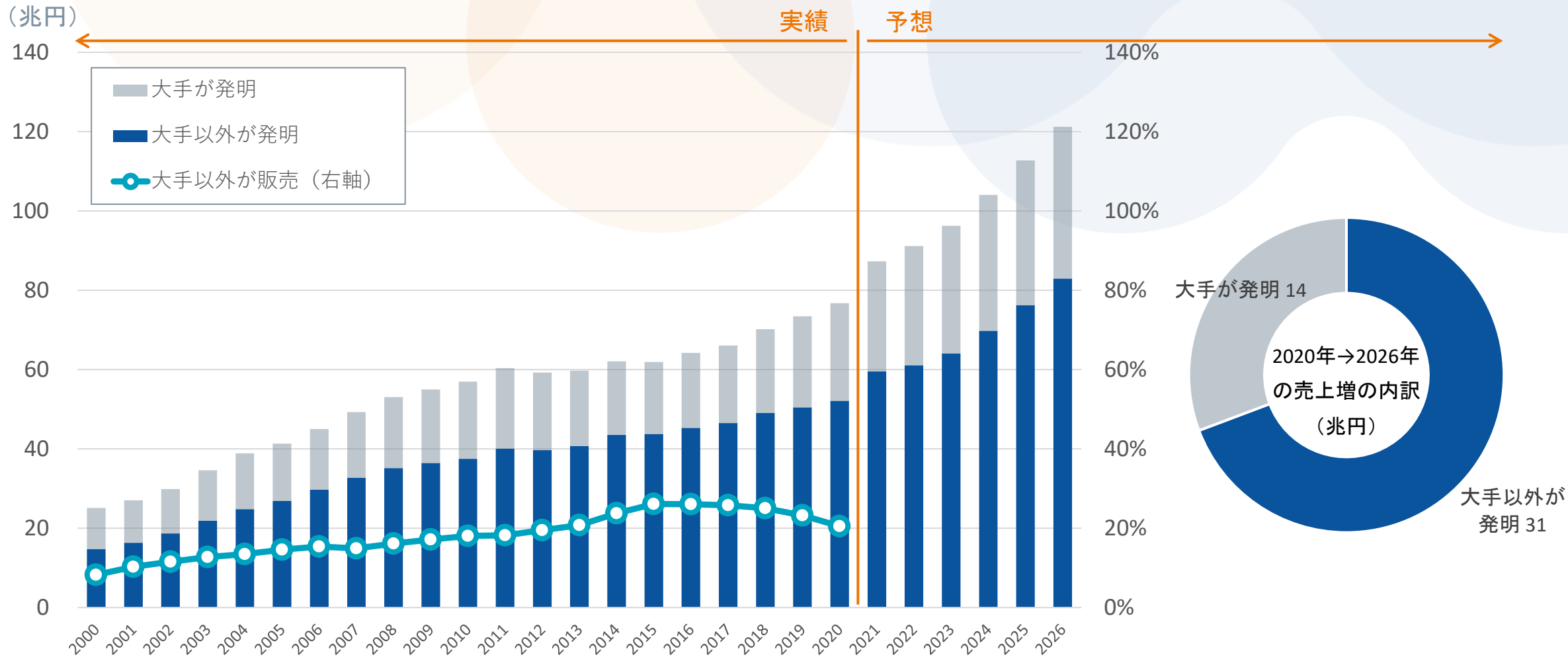
2026年までに低分子は17兆円、抗体は13兆円の市場増が世界で期待されている



出所: Evaluate Pharmaより当社作成

“発明者別”の医薬品の売上高の実績と予想

ベンチャーは医薬品の約7割の“発明者”だが、販売では約2割に留まる

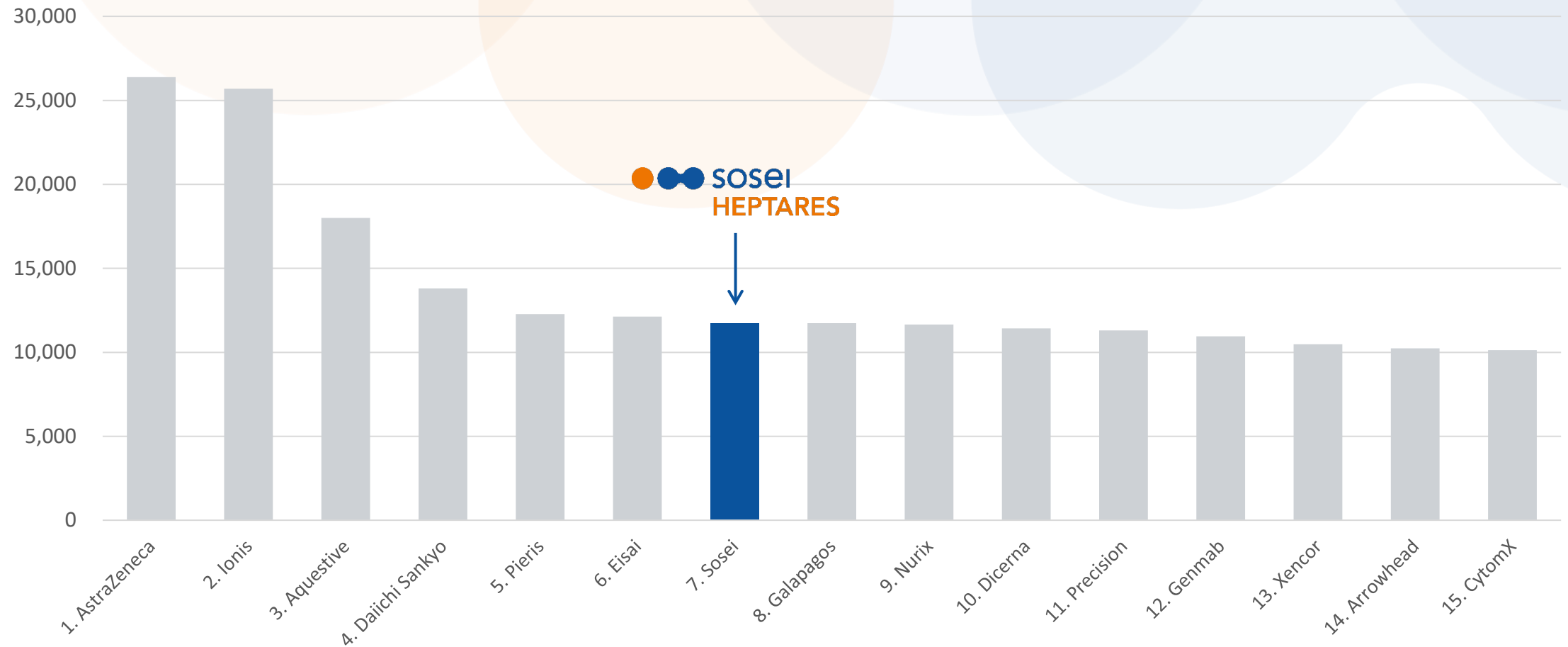


*大手はEvaluate社の企業の定義で“Global Majors (Pharma)”, “Regional Major (Pharma)”, “Generic”を合算
出所: Evaluate Pharmaより当社作成

製薬/バイオ医薬品企業のライセンス金額ランキング上位15社

2015年以降のライセンス金額ランキングで、当社は世界7位に位置付けられている

(百万ドル)



出所: Evaluate Pharma (2022/1/18時点)より当社作成



3

収益構造と
2021年12月期連結業績

2021年も事業は順調に進展

2021年12月期(1-12月)業績ハイライト

1

ニューロクライン社との提携契約締結により、売上収益は17,712百万円(前期は8,842百万円)と大幅増

2

ニューロクライン社との提携契約締結により、コア営業利益は8,904百万円(前期は2,904百万円)、営業利益は3,775百万円(前期は928百万円)と大幅増

3

大幅な減損損失、条件付対価評価損があったものの、当期利益は1,017百万円と持続的な通期黒字目標を達成

4

約100億円を新規成長投資を目的に調達。戦略的成長と投資加速に向けて既存の資金に上乗せ

5

現金および現金同等物は前期末比201億円増の601億円と強固な水準を維持

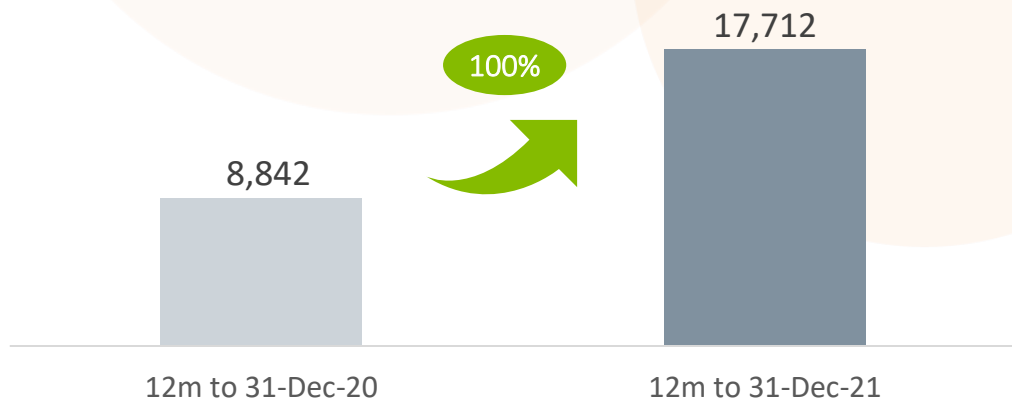
バランスが取れた独自のビジネスモデルにより、引き続き持続可能な財務状態を維持

(注)為替レート:1ドル=110.16(2021年度)、106.77(2020年度)

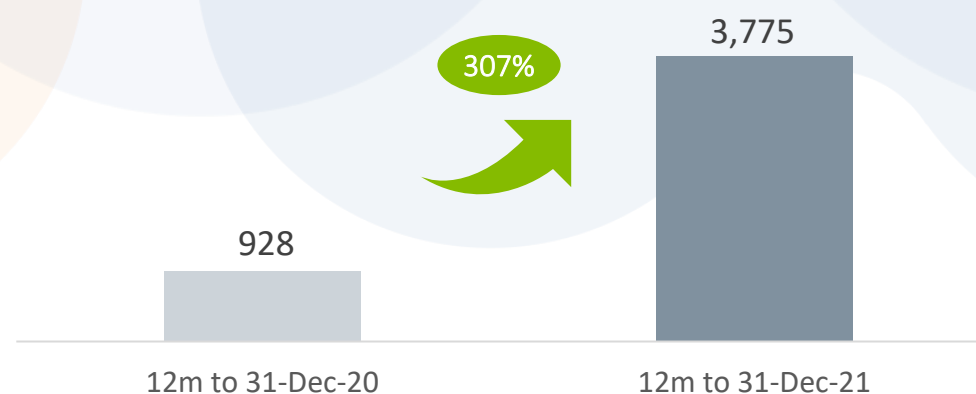
主要決算数値

計画通りの研究開発費増、減損損失(非現金)があったが、売上増加で営業利益は大幅増

売上収益(百万円)



営業利益(百万円)



- ニューロクライン社との提携契約締結により売上収益は前期比100%の大幅増。既存の提携先からの主なマイルストーンは以下の通り:
 - GSK社(GPR35)
 - ファイザー社(MC4第I相試験開始)
 - ジェネンテック社(StaR®タンパク質を提供)
 - アッヴィ社、ジェネンテック社との提携に関する前受収益から売上収益への振替額の増加
- ノバルティス社からのロイヤリティはやや減少

- 当社独自の開発プログラムの活動水準を高めたこと、新規共同研究への支出、ポンド高により研究開発費は増加
- 提携先が一部の導出候補品の臨床試験を行わないと決定したことに伴う無形資産の減損を計上
- リストリクテッド・ストック・ユニット(RSU)発行に伴う株式報酬費用の増加 - 株価変動のメリットとリスクを株主様と長期的に共有

(注) 投資家に資する新たな財務指標として「コア営業利益」を導入したことから、従来記載していた現金利益、現金支出費用は記載しておりません

売上高の内訳

減損と条件付対価評価損にも関わらず、ニューロクライン社からの収入により当期利益を計上

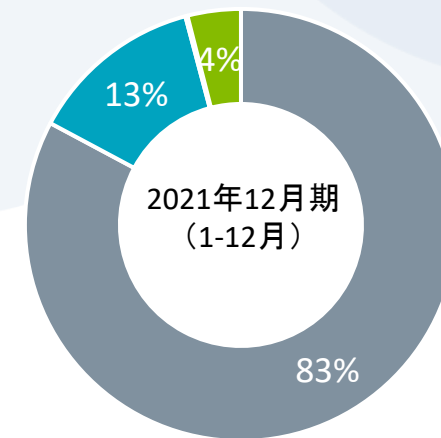
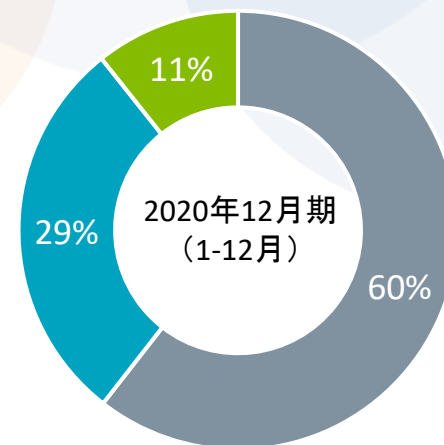
百万円

百万ドル

売上収益内訳

	2020年12月期 (1-12月)	2021年12月期 (1-12月)	2020年12月期 (1-12月)	2021年12月期 (1-12月)
売上収益	8,842	17,712	82.8	160.8
売上原価	(761)	(933)	(7.1)	(8.5)
研究開発費	(3,793)	(5,931)	(35.5)	(53.8)
販売費及び一般管理費	(3,435)	(3,940)	(32.2)	(35.8)
その他の収益	79	8	0.7	0.1
その他の費用	(4)	① (3,141)	(0.0)	① (28.5)
営業利益	928	3,775	8.7	34.3
金融収益	1,628	199	15.2	1.8
金融費用	(578)	② (3,797)	(5.4)	② (34.5)
持分法による投資利益等	(356)	256	(3.3)	2.3
税引前当期利益	1,622	433	15.2	3.9
当期利益	1,479	1,017	13.8	9.2

- ① M1作動薬について提携先が従来の導出候補品の臨床試験を行わず、より新しい科学的性質およびより長い特許期間を持つ次世代の候補品の開発に注力すると決定したことに伴う非現金の減損損失3,064百万円を含む
- ② ニューロクライン社との提携契約締結に伴い計上したHeptaresの旧株主に対する債務35百万ドルに対応する一時的な条件付対価評価損2,891百万円を含む。なお、Heptaresの旧株主との2015年の株式取得契約の大部分は失効しており、今後は発生する条件付対価はかなり限定的なものとなる

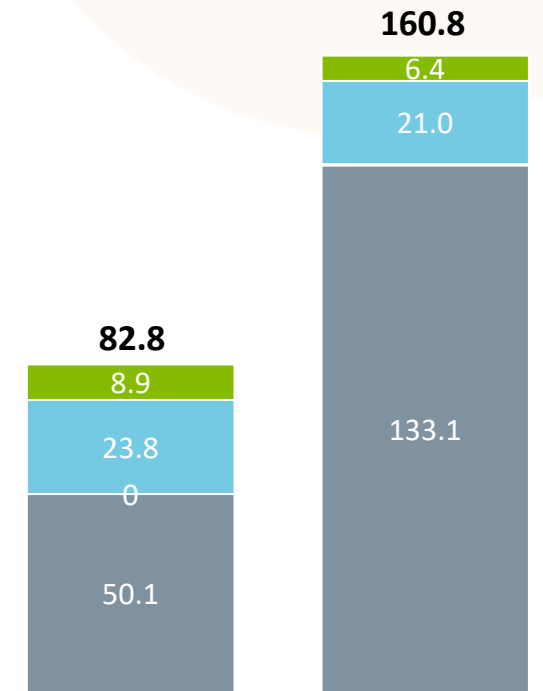


	2020年12月期(1-12月)		2021年12月期(1-12月)	
■ マイルストーン	5,353百万円	50.1百万ドル	14,667百万円	133.1百万ドル
■ ロイヤリティ	2,544百万円	23.8百万ドル	2,311百万円	21.0百万ドル
■ 医薬品販売	-	-	28百万円	0.3百万ドル
■ その他	945百万円	8.9百万ドル	706百万円	6.4百万ドル
売上収益合計	8,842百万円	82.8百万ドル	17,712百万円	160.8百万ドル

(注) 為替レート: 1ドル=110.16(2021年度)、106.77(2020年度)

セグメント別売上高の詳細(IFRS)

百万ドル



2020年12月期(通期)

2021年12月期(通期)

- その他
- ロイヤルティ
- 医薬品販売
- マイルストーンおよび契約

通期売上高に計上されたマイルストーンおよび契約一時金の内訳*

時期	2020年の関連イベント	売上高 (百万ドル)
20年2月	第一三共のリード化合物獲得	1.5
20年6月	アヅヴィ社との提携一時金	2.5
20年6月	ノバルティス社のエナジア®が日本で承認	1.3
20年7月	ノバルティス社のエナジア®がEUで承認	5.0
20年8月	武田薬品の構造解析完了	0.3
20年9月	ファイザー社のPhase1試験開始	5.0
20年11月	Tempero Bio社からの契約一時金	5.0
20年11月	Tempero Bio社の株式受領	2.0
20年11月	バイオハイブン社からの契約一時金	5.0
20年11月	バイオハイブン社の株式受領	4.7
20年12月	アヅヴィ社の構造解析完了	0.7
20年12月	武田薬品工業の構造解析完了	0.3
20年12月	GSK社の契約一時金	12.5
	その他パートナー企業からの収入	4.3

時期	2021年の関連イベント	売上高 (百万ドル)
21年2月	ジェネンテック社の構造解析完了	1.1
21年2月	ジェネンテック社の構造解析完了	0.5
21年4月	ジェネンテック社の構造解析完了	1.1
21年5月	ファイザー社のPhase1試験開始	5.0
21年6月	バイオハイブン社のPhase1試験開始	0.5
21年7月	富士フイルム富山化学がオラビ錠の独占販売権解除	-4.5
21年11月	久光製薬がオラビ錠の独占販売権取得	4.1
21年11月	武田薬品の契約一時金	2.5
21年12月	ニューロクライン社の契約一時金	100.0
21年12月	ジェネンテック社の構造解析完了	0.8
21年12月	GSK社の候補化合物選定	6.9
	その他パートナー企業からの収入	15.1

* 売上高は該当する決算期の会計上の売上高で、実際に受領した現金とは異なる場合があります

「コア営業利益」の導入

投資家に資する新たな財務指標として、コア営業利益を導入

	百万円		百万ドル	
	2020年12月期 (1-12月)	2021年12月期 (1-12月)	2020年12月期 (1-12月)	2021年12月期 (1-12月)
営業収益 (IFRS)	8,842	17,712	82.8	160.8
売上原価 (IFRS)	(761)	(933)	(7.1)	(8.5)
研究開発費 (IFRS)	(3,793)	(5,931)	(35.5)	(53.8)
販売費および一般管理費 (IFRS)	(3,435)	(3,940)	(32.2)	(35.8)
営業費用合計 (IFRS)	(7,989)	(10,804)	(74.8)	(98.1)
その他の収益 (IFRS)	75	(3,133)	0.7	(28.4)
営業利益 (IFRS)	928	3,775	8.7	34.3
重要な非現金支出費用の加算:				
減価償却費	507	540	4.8	4.9
無形資産の償却費	843	738	7.9	6.6
株式報酬費用	626	713	5.8	6.5
減損損失	-	3,138	-	28.5
重要な一時的支出費用の減算:				
構造改革費用/その他一時的費用	-	-	-	-
コア営業利益	2,904	8,904	27.2	80.8

- 説明
- **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**

今後は日本の大手製薬会社と同様の形式でも損益計算書を開示
 ここでは投資家にとって重要な財務指標である「コア営業利益」の算出方法を説明

(注) 2021年12月期の費用見込み(2021年12月期第3四半期時点): 研究開発費に係る現金支出(現金ベース)5,000百万円~5,750百万円、一般管理費に係る現金支出(現金ベース)1,800百万円~2,300百万円
 2021年12月期の費用実績: 研究開発費に係る現金支出5,511百万円、一般管理費に係る現金支出2,518百万円

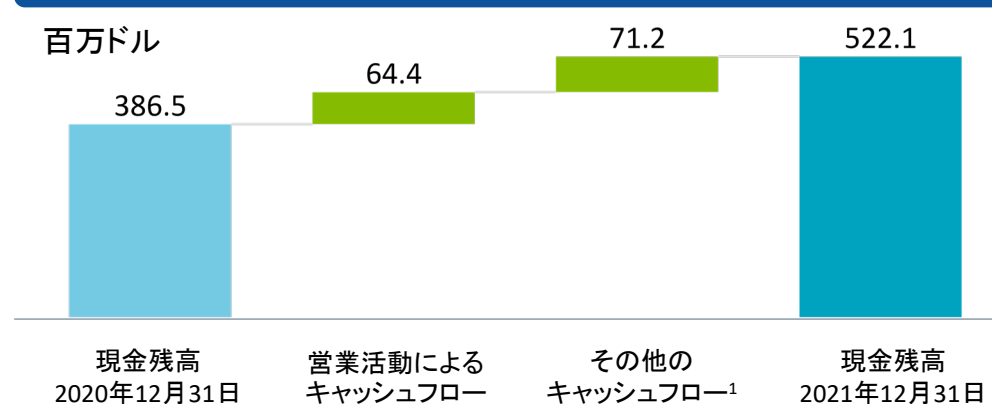
バランスシート

当社グループの持続可能なビジネスモデルと戦略の実効性を裏付ける強固なバランスシート

	百万円		百万ドル	
	2020年 12月31日	2021年 12月31日	2020年 12月31日	2021年 12月31日
のれんおよび無形資産	25,936	① 24,215	250.5	① 210.4
有形固定資産	3,824	3,817	36.9	33.2
現金および現金同等物	40,008	② 60,087	386.5	② 522.1
持分法で会計処理されている投資	3,087	3,479	29.8	30.2
その他の金融資産	1,593	2,650	15.4	23.0
その他の資産	2,017	2,737	19.5	23.9
資産合計	76,465	96,985	738.6	842.8
転換社債	14,789	③ 27,440	142.9	③ 238.5
企業結合による条件付対価	1,107	④ 4,095	10.7	④ 35.6
その他の負債	8,188	8,524	79.0	74.0
負債合計	24,084	39,517	232.6	343.4
資本合計	52,381	57,468	506.0	499.4

- 説明
- ① 提携先が一部の導出候補品の臨床試験を行わないと決定したことに伴う無形資産の減損に伴う減少
 - ② 転換社債の発行およびニューロクライン社からの契約一時金の受領により現金および現金同等物は大幅増
 - ③ 新発転換社債を発行(7月21日)
 - ④ ニューロクライン社との提携契約締結に関連した35百万ドルの債務を含む

キャッシュ・ウォーターフォールチャート(2021年12月までの12ヵ月)



(注) 為替レート: 1ドル=103.52円(2020年12月31日スポットレート)、115.07円(2021年12月31日スポットレート)

1. 財務活動、投資活動によるキャッシュ・フローおよび為替に関する変動を含む

2022年12月期の費用見込み

従来の現金費用ベースからIFRSベースでの開示に変更

費用見込み
(2022年12月期)

研究開発費(IFRSベース)

5,750百万円～6,750百万円
(2021年実績:5,931百万円)

- ✓ 全部門で投資を拡大し、能力を強化することで、優先度の高いアセットを初期臨床開発へと進展させ、提携に向けた価値向上を図る

一般管理費(IFRSベース)

3,750百万円～4,250百万円
(2021年実績:3,940百万円)

- ✓ 優れたサイエンス実現のために管理部門(IT、財務、人事など)への投資を維持
- ✓ 強固なガバナンス体制を構築

バランスが取れた持続可能なビジネスモデルに基づき、2022年度の研究開発費および一般管理費は2021年度比で小幅増を見込む。将来の価値創造に向けて足元での投資を実施



4

ビジネスハイライト

2021年の振り返り

内部成長と戦略的成長の両輪で、今後の成長を推進

2021年期初目標

結果



内部成長

- 1 平均年2~3件の価値の高い提携/共同投資の実行
- 2 GPCRの専門性を強化
- 3 平均年2つの新規前臨床候補品を創出
- 4 パイプラインの進展を実現

- ✓ 1件達成 
- ✓ 達成: 創薬プラットフォームを継続的にアップデート
- ✓ 達成: M1作動薬バックアップ、M1/M4作動薬等
- ✓ 達成: MC4拮抗薬、CGRP拮抗薬等がPhase1試験段階に進捗

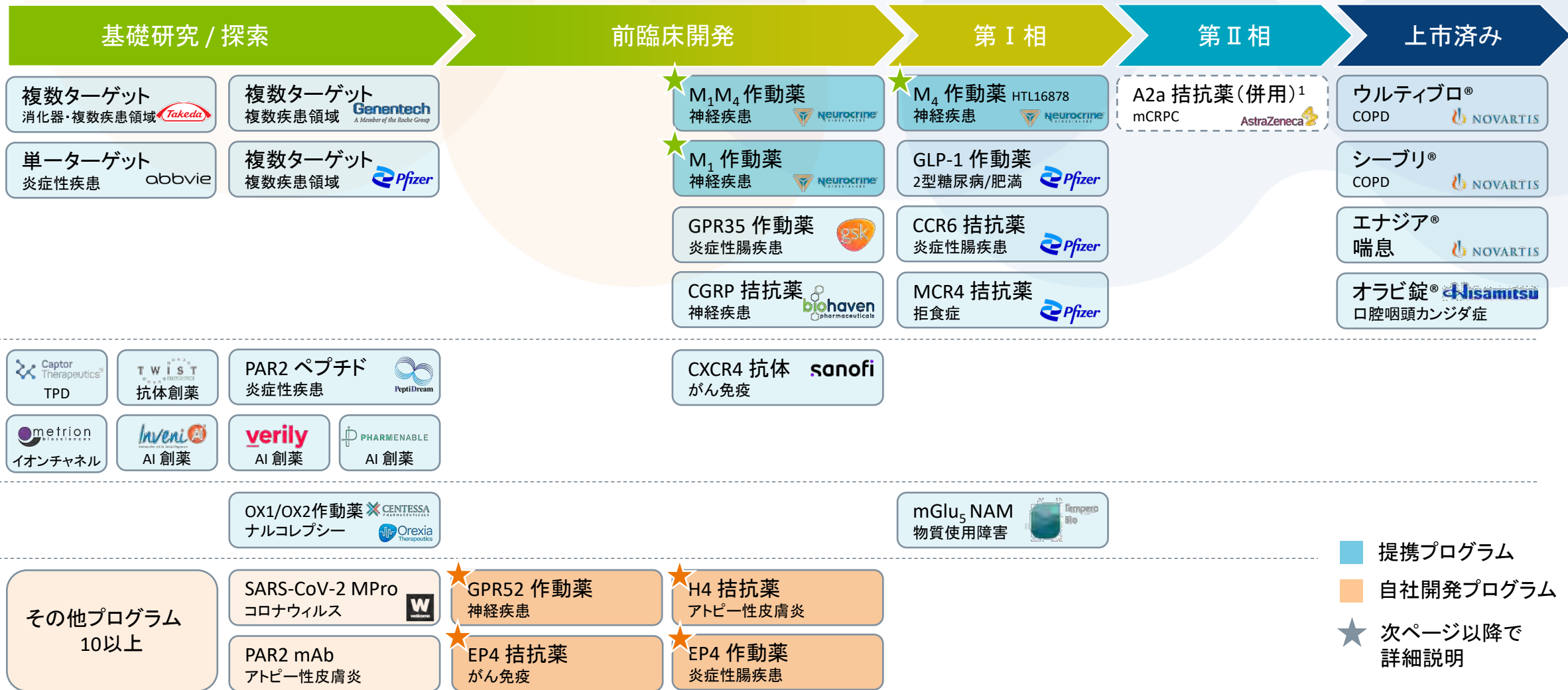


戦略的成長

- 1 企業買収など収益創出につながるチャンスを模索
- 2 新規テクノロジーへの投資と技術提携
- 3 GPCR以外への創薬ターゲット拡大
- 4 後期臨床開発段階のアセットを日本市場向けに導入

- ✓ 追加資金調達を7月に完了。適切な買収先検討を継続
- ✓ 達成 
- ✓ 達成 
- ✗ 未達成

主要パイプライン



■ 提携プログラム
■ 自社開発プログラム
★ 次ページ以降で
 詳細説明

(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。¹アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A2aプログラムを臨床パイプラインから削除しています

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I相	第II相	第III相	申請	販売
伝統的な導出プロジェクト											
シーブリ®	LAMA	低分子	COPD	NOVARTIS	■	■	■	■	■	■	■
ウルティブロ®	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	Hisamitsu	■	■	■	■	■	■	■
Imradenant ¹	アデノシンA2a拮抗薬(併用)	低分子	転移性去勢抵抗性前立腺がん	AstraZeneca	■	■	■	■	■	■	■
HTL0016878	ムスカリンM4作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	ムスカリンM1/M4作動薬	低分子	神経疾患	neurocrine	■	■	■	■	■	■	■
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	biogen	■	■	■	■	■	■	■
(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	複数の適応症	Pfizer	■	■	■	■	■	■	■
(非開示)	複数ターゲット	低分子/生物製剤	複数の適応症	Genentech	■	■	■	■	■	■	■
(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)	単一ターゲット	低分子	炎症性疾患	abbvie	■	■	■	■	■	■	■









(注)シーブリ®、ウルティブロ®、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。1 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** 自主的に中断中

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I相	第II相	第III相	申請	販売
共同開発プロジェクト/収益分配型											
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	NovoDerm							
(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)	抗体創薬	モノクローナル抗体	疾患に関連するGPCR	TWIST							
(非開示)	AIによる複数標的の探索	低分子	免疫疾患	verily							
アセット特化型企业(共同投資)											
TMP301	mGlu5 NAM	低分子	物質使用障害	Tempo Bio							
(非開示)	OX1/OX2作動薬(経口・経鼻)	低分子	ナルコレプシー	CENTESSA, Orexia Therapeutics							

主要な提携契約

2021年にはニューロクラインとの大型提携を実現

提携先	提携時期	プログラム	疾患領域	契約一時金 初期マイルストーン	マイルストーン総額 (最大) ¹
	2021年11月	M4、M1、M1/M4作動薬の ライセンス契約と研究開発提携	神経疾患	100百万ドル	26億ドル
	2020年12月	GPR35作動薬のライセンス契約 と研究開発提携	消化器疾患/免疫疾患	44百万ドル	4.8億ドル
	2020年12月	CGRP拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携	神経疾患	10百万ドル	3.8億ドル
	2020年6月	ライセンスオプションを 含む創薬提携 ²	炎症性疾患/自己免疫	32百万ドル	4億ドル
	2019年8月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数 当面は消化器疾患に注力	26百万ドル	12億ドル
	2019年7月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	26百万ドル	10億ドル
	2015年11月	複数のターゲットを 対象とした創薬提携	複数	--	18億ドル
	2015年8月	A _{2a} 拮抗薬のライセンス契約 と研究開発提携 ³	がん免疫	10百万ドル	5億ドル

¹ 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、ロイヤリティとして売上高の一定割合(通常1桁中盤~2桁の段階的ロイヤリティ)を受領する権利を有する。² アッヴィは最大3つのターゲットを追加的に選定できるオプションを有する。³ アストラゼネカ社は、2021年第3四半期に、A_{2a}プログラムを臨床パイプラインから削除しています。

自社開発パイプライン

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I相	第II相	第III相	申請	販売
自社開発品(提携前)											
(非開示)	H4拮抗薬	低分子	アトピー性皮膚炎	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	EP4拮抗薬	低分子	がん免疫	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	GPR52作動薬	低分子	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
(非開示)	EP4作動薬	低分子	炎症性腸疾患	●●● 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	■						
SH-879	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	(非開示)	低分子/生物製剤	神経疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	消化器・炎症性疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
複数ターゲット	(非開示)	低分子/生物製剤	免疫疾患	●●● SOSEI HEPTARES	■						
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)											
HTL30310	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	デュアル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	■						

潜在市場規模の推定

主に前臨床以降にある当社開発品に対応する市場規模と、個別製品のピーク売上高を整理

カテゴリー	疾患名 ²	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	\$7,266M (2010)	\$3,913M (2009/Aricept)	M1 作動薬、M1/M4 作動薬
	統合失調症	約2,000万人	\$20,691M (2011)	\$6,198M (2013/Abilify)	M4 作動薬、M1/M4 作動薬
	物質使用障害	約1,040万人 ¹	-	-	mGlu5 NAM
	ナルコレプシー	約300万人	\$2,014M (2020)	\$1,742M (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	\$152,495M (2020)	\$14,380M (2020/Keytruda)	A2a 拮抗薬、EP4 拮抗薬、抗CXCR4 抗体
	炎症性腸疾患	約1,000万人	\$19,966M (2020)	\$7,809M (2020/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	\$4,127M ³ (2020)	\$3,204M (2020/Dupixent)	H4 拮抗薬、抗PAR2 抗体
その他	2型糖尿病/肥満	約4.2億人	\$48,861M (2020)	\$6,652M (2014/Lantus)	GLP1作動薬
	拒食症	約290万人	-	-	MC4 拮抗薬
	SARS-CoV-2	2.4億人	-	-	Mpro 阻害薬
合計			\$255,420M	\$43,898M	

出典(患者数): World Health Organization、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 ¹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(2022/1/18時点) ²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

³該当する疾患区分が無いため「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



5

内部成長プラン

2021年の振り返り(内部成長)


主な進捗があったムスカリンの提携と創薬プラットフォームの拡充について、以降でハイライト

2021年期初目標

通期結果





内部成長

- | | | | |
|---|-------------------------|---|------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1 | 平均年2~3件の価値の高い提携/共同投資の実行 | ✓ | 1件達成  |
| 2 | GPCRの専門性を強化 | ✓ | 達成: 創薬プラットフォームを継続的にアップデート |

- | | | | |
|---|-------------------|---|-----------------------------------|
| 3 | 平均年2つの新規前臨床候補品を創出 | ✓ | 達成: M1作動薬バックアップ、M1/M4作動薬等 |
| 4 | パイプラインの進展を実現 | ✓ | 達成: MC4拮抗薬、CGRP拮抗薬等がPhase1試験段階に進捗 |



戦略的成長

- | | | | |
|---|-------------------------|---|------------------------------------------------------------------------------------------|
| 1 | 企業買収など収益創出につながるチャンスを模索 | ✓ | 追加資金調達を7月に完了。適切な買収先検討を継続 |
| 2 | 新規テクノロジーへの投資と技術提携 | ✓ | 達成  |
| 3 | GPCR以外への創薬ターゲット拡大 | ✓ | 達成  |
| 4 | 後期臨床開発段階のアセットを日本市場向けに導入 | X | 未達成 |

ニューロクライン社との戦略的提携

契約一時金1億ドル、最大26億ドルのムスカリン受容体作動薬を対象とした新規提携

1

ニューロクライン社は、中枢神経疾患領域の治療薬としてベスト・イン・クラスとなりうる、選択的ムスカリン受容体作動薬ポートフォリオの権利を取得

2

当社グループは、契約一時金として100百万米ドルを受領

3

当社グループは、研究開発資金に加え、開発、申請・承認マイルストーン最大15億米ドル、販売マイルストーン最大11億米ドル、さらに売上高に対するロイヤリティ（最高10%台半ば）を受領する権利を有する

4

当社グループは、日本での全ての適応症に対する全てのM1作動薬の権利を保持し、ニューロクライン社は日本での共同開発および共同販売のオプションを保有する

導出したポートフォリオ

M4作動薬
(全世界の権利)

M4/M1デュアル作動薬
(全世界の権利)

M1作動薬
(日本以外の権利)

統合失調症およびその他の神経疾患を対象とした新規ムスカリン受容体作動薬の開発



M4 作動薬の競合環境

ムスカリンM4受容体は、様々なタイプの統合失調症で有効性が証明されつつあるターゲット

	 KARUNA THERAPEUTICS	 cerevel	 sosei HEPTARES
リードプログラム	KarXT	CVL-231 (Emraclidine)	HTL16878
作用機序	M ₁ /M ₄ 作動薬 M ₂ /M ₃ 拮抗薬	M ₄ PAM ²	M ₄ 作動薬
現在のフェーズ (最も進んでいる)	第III相	第Ib相	2022年に第II相開始予定
ターゲット	統合失調症 認知症の精神症状	統合失調症	統合失調症
臨床データの 株価への影響 ¹	第II相臨床試験で主要評価項目 を達成 (2019年11月18日) 株価\$17.68 → \$85.10 (17億ドル超の時価総額増)	第I相臨床試験の良好な結果 (2021年6月29日) 株価\$12.57 → \$23.20 (16億ドル超の時価総額増)	-

当社の治療薬候補は
ベスト・イン・クラスに
なる可能性がある

- 非M4ムスカリン系副作用の回避
- 末梢性M4の心血管系への影響を緩和する
- PAMとは異なるプロファイルで、M4作動薬は、コリン作動性緊張を欠く患者により効果的である可能性が高い。

¹発表日5日後の株価の変化 ²PAM = Positive Allosteric Modulator (ポジティブ・アロステリック・モジュレーター)
出典: 当社開示資料, FactSet



Neurocrine
BIOSCIENCES



M₁作動薬の想定対象市場

ピーク売上高4,000億円のドネペジル(標準療法)に上乗せ、ベストインクラスを目指す

	患者数予想 (2030年)	アルツハイマー型認知症			レビー小体型認知症 (DLB)
		軽度 1,850万人	中等度 1,150万人	高度 520万人	650万人
症候 改善薬	M1作動薬 (ドネペジルと併用)	← HTL18318のPhase1試験の対象 →			HTL18318について日本で Phase2を計画後中断中
	例:ドネペジル ピーク売上:4,000億円 (2010年)	← →		→ 適応拡大	→ 適応拡大(日本のみ)
疾患 修飾薬	例:アデュカヌマブ	← →			

出典:市場規模、患者数はEvaluatePharmaより作成

4つの自社開発品

今後1~2年に優先的に開発を行う自社開発プログラム4品目



統合失調症
および精神疾患

GPR52 作動薬



アトピー性皮膚炎

H4 拮抗薬



固形がんにおける
がん免疫療法

EP4 拮抗薬



炎症性腸疾患

EP4 作動薬

製品の特長

- 1日1回経口投与の低分子
- 24時間標的に作用

- 1日1回経口投与の低分子
- 単剤もしくは併用にて投与

- 1日1回経口投与の低分子
- チェックポイント阻害剤と併用にて投与

- 経口投与、消化管に限定的に作用
- 良好な有効性および選択性
- 消化管全体への影響は最小限

創薬プラットフォームの強化①

世界をリードするGPCR創薬プラットフォームに新技術導入でさらに強化



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

世界をリードする
ITを活用した
GPCR創薬
プラットフォーム

“難しいターゲットをより早く”

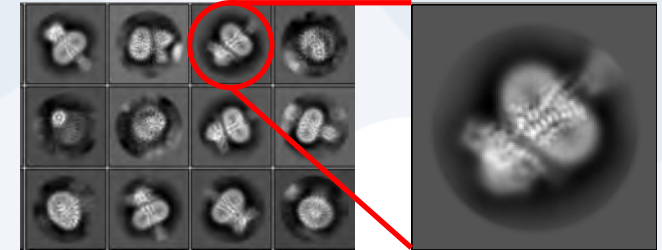
“より良い化合物をより早く”

創薬プラットフォームの強化②

既存の基盤技術 (StaR®/SBDD) に新技術が加わり、より強力かつ迅速なプラットフォームに深化

クライオ
電子顕微鏡
(Cryo EM)

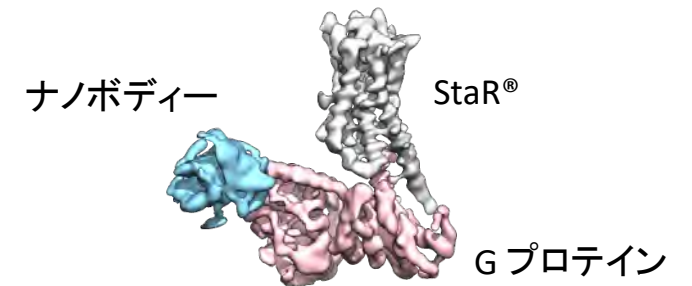
- 2020年から2021年の間にクライオ電子顕微鏡で12のGPCRの構造を解析
- 当社は、CryoEMを社内に保有し、またケンブリッジにある2台の高出力機も利用が可能。ヘプタレス社共同創業者であり当社グループの科学諮問委員のRichard Hendersonは、この技術の開発で2017年にノーベル賞を受賞している
- ファミリーB受容体は、様々な疾患領域に関与しており、長年の創薬ターゲットであるが、これらの受容体の構造決定は歴史的に困難であった。当社は、X線結晶解析とCryoEMの両方を用いてファミリーB受容体の複数の構造を同定し、構造ベース創薬を可能にした



2D class averages

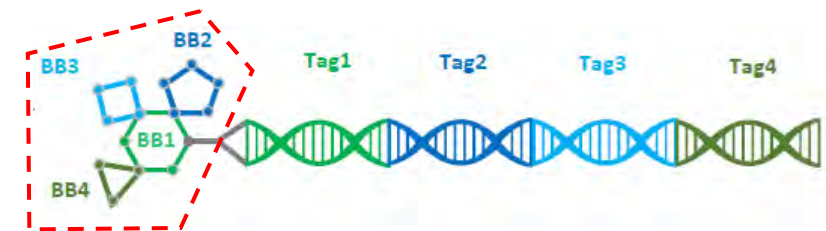
プロテイン
バインダー
(タンパク質結合)
ツールキット

- CryoEM構造の大半の解析には、様々なタンパクドメインの追加導入が必要だった
- タンパクドメインにはStaR®タンパク質への結合や、発現、精製中の導入が含まれている
- このようなCryoEMでの構造解析を実現するためのタンパクドメインには、フュージョンパートナー、ミニGタンパク質、ナノボディ、抗体フラグメントなど、多様な選択肢があるが、当社ではこれらいずれも使用実績が蓄積されている
- プロテインバインダーは、構造解析だけでなく、タンパク質工学、生物物理学、薬理学にも活用されている



DELスクリーニング
(DNAエンコード
ライブラリ)

- 創薬初期電解でヒット化合物を得るための新たな戦略
- 150億~1兆を超える化合物ライブラリーが活用可能であり、これまでにないレベルの多様な化合物へのアクセスが可能。かつ、同定を容易にするようデザインされた化合物
- 2018年にPAR2の安定化タンパク質 (StaR®) 創出のために初めてDELを活用
- 現在、13のStaR®タンパク質がDELスクリーニングの対象となっている



*miniG技術に関する米国特許US 10,738,287 B2が2020年にHeptares Therapeutics Limitedの名義で取得されました。miniGファミリーから初めて付与された特許WO 2017/129998 A1は2021年に英国 (GB 2558968B) およびオーストラリア (AU 2017212788B2) でも付与され、欧州、中国、日本、カナダを含む地域で出願中です。






6

外部成長戦略

2021年の振り返り(戦略的成長)

主な進捗があった新規テクノロジーとGPCR以外へ拡大について、以降でハイライト

	2021年期初目標	通期結果
内部成長	1 平均年2~3件の価値の高い提携/共同投資の実行	✓ 1件達成 
	2 GPCRの専門性を強化	✓ 達成: 創薬プラットフォームを継続的にアップデート
	3 平均年2つの新規前臨床候補品を創出	✓ 達成: M1作動薬バックアップ、M1/M4作動薬等
	4 パイプラインの進展を実現	✓ 達成: MC4拮抗薬、CGRP拮抗薬等がPhase1試験段階に進捗
戦略的成長	1 企業買収など収益創出につながるチャンスを模索	✓ 追加資金調達を7月に完了。適切な買収先検討を継続
	2 新規テクノロジーへの投資と技術提携	✓ 達成 
	3 GPCR以外への創薬ターゲット拡大	✓ 達成 
	4 後期臨床開発段階のアセットを日本市場向けに導入	✗ 未達成

戦略的提携のための課題

テクノロジーを生かせる適切なターゲット、治療薬候補の選択が重要

戦略的提携を実現するための重要な課題



適切なターゲットの選択

- ターゲットを調整することで疾患に関与できるのか？
- ターゲットに対する良いモジュレーターを見出せるか？



治療薬候補の発見

- 適切な特徴を有するモジュレーターを特定する
- 競合が存在する場合は差別化する



適切な治験(患者対象)の実施

- 疾患治療薬の価値を実証する
- 患者の層別化を裏付けるためにバイオマーカーを使用する

戦略的提携の位置づけ

新しい創薬手法を牽引する業界内のコラボレーション



標的GPCRの発掘

verily

Inveni AI
innovate with intelligence

当社の基盤技術

StaR®	SBDD
CryoEM	DEL Screening
Protein Binder Toolkit	

治療薬候補の創出

PHARMENABLE metrion biosciences
TWIST BIOSCIENCE Captor Therapeutics® PeptiDream kymab

GPCR以外にも
活用可能な
ITを活用した世界屈指の
創薬プラットフォーム

戦略的提携パートナー①

2021年以降、AI創薬分野で新たに3つの提携を実現



verily

AI 創薬 (ターゲット探索)

- Verily 社の持つ免疫プロファイリング能力と当社グループの StaR® 技術および SBDD プラットフォームを組み合わせた研究開発提携
- 免疫細胞に発現する GPCR を同定し、その機能的関連性に対する理解を深め、免疫疾患における創薬ターゲットとなり得る物質探索を目指す



Inveni AI
innovate with intelligence

AI 創薬 (ターゲット探索)

- Inveni AI 社の AI を活用した標的探索プラットフォームと、当社グループの GPCR 構造ベース創薬および初期開発能力を組み合わせた研究開発提携
- 免疫疾患領域における新規治療薬のコンセプトを特定し、既に市販されている免疫治療薬より反応性が改善された新規化合物創出を目指す



PHARMENABLE

AI 創薬 (化合物設計)

- PharmEnable 社の AI 技術と創薬化学技術を活用した技術提携
- 神経疾患に関連する難易度の高いペプチド性 GPCR 標的に対する新規創薬を推進するための協業

複数のターゲット探索を目的としたVerily社との提携

免疫疾患を対象とした新規治療薬開発を加速

300超の
有力な
GPCR

優先順位の高い
標的候補

構造ベース
創薬

verily Immune Profiler

データ
サンプル当たり800万のリードアウト
+ 参照データ

分析
統合分析
+ 精度管理

+ セルソーティングおよび細胞存在比率

+ 遺伝子発現

+ 疾患スコア、治療/反応

+ クロマチンアクセシビリティおよびコンタクト

優先パスウェイおよびシグネチャー

多面的エビデンス

公開データセット

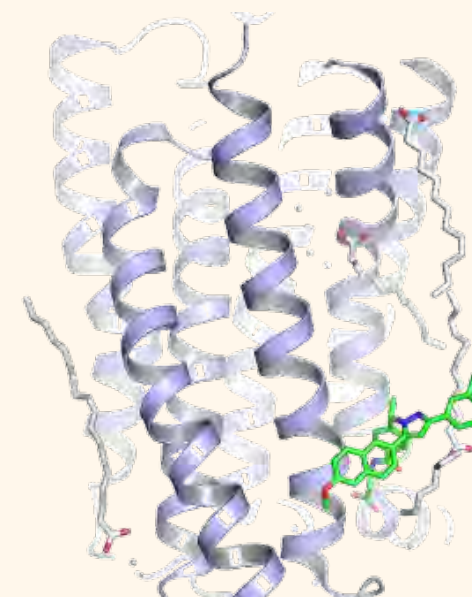
ウェットラボでの検証

= より良い治療プランと診断プラン *

sosei
HEPTARES

StaR® Platform

GPCRは、他のどの
クラスのタンパク質
よりも、上市済
あるいは開発中の
医薬品の標的や
作用部位となっ
ている



* Tx (therapeutic) : 治療プラン、Dx (diagnostic) : 診断プラン

戦略的提携パートナー②

当社のSBDDプラットフォームは、GPCR以外の領域にも適用されつつある



標的GPCR分解

- 当面、消化器疾患の有力な治療薬として標的GPCR分解を誘導する低分子の同定を対象とした技術提携
- さらに、GPCR-E3 リガーゼ複合体周囲の高解像度の構造情報を把握して、創薬に対する取り組み強化を目指す



イオンチャンネル

- イオンチャンネルに対する創薬に当社グループのSBDD技術が応用できる可能性を示す技術提携
- 当面、神経疾患に関連する一つのイオンチャンネルに対し、新規かつ特異性の高いリード化合物の特定を目指す



抗体創薬

- ツイスト社が保有する合成抗体ライブラリおよび高度なバイオインフォマティクスの専門知識と当社グループのStaR®技術を組み合わせた創薬共同研究開発
- 当社グループが特定したGPCRに対する抗体医薬品の創薬を目指す
- 当社グループは、本共同研究で特定されたリード抗体の開発・商業化に対する、グローバルでの独占的な権利を有する

収益を確保するための転機となる可能性を持った企業買収を検討

説明事例 – 試算ベース収益インパクト



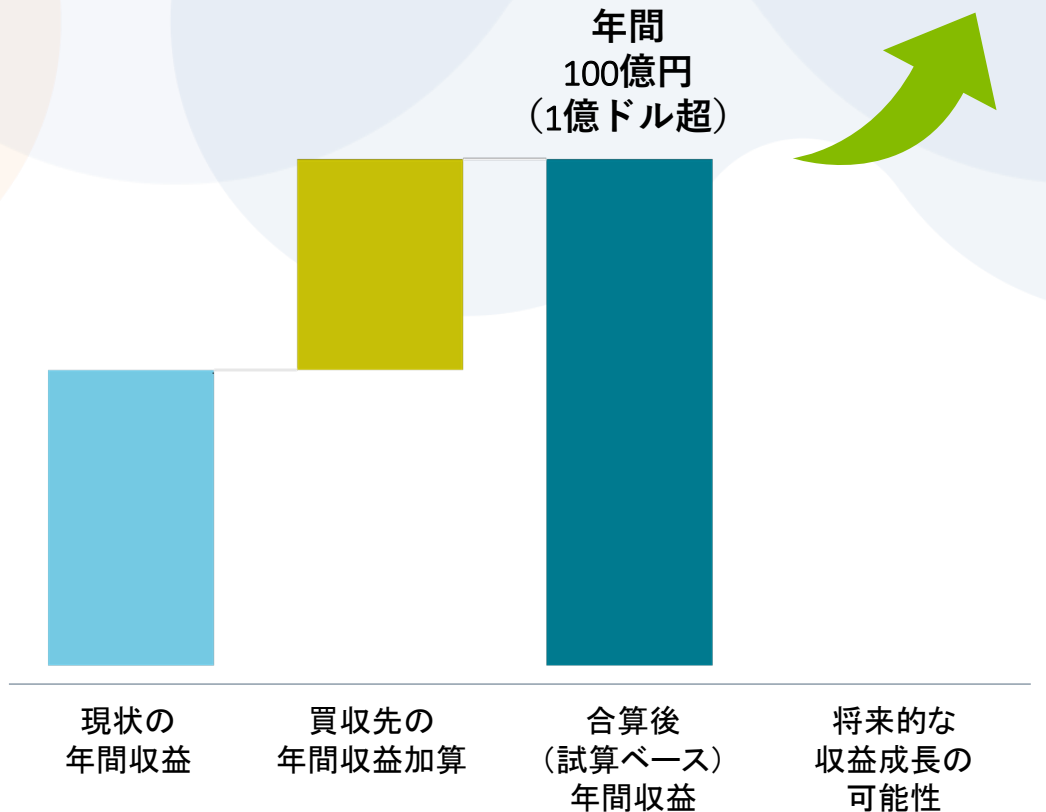
収益を生み出す企業、製品もしくはアセット獲得のための買収先の探索を開始



年間収益が少なくとも50億円(5,000万ドル)かつ増収中であることが対象企業の最低条件



複数の治療領域および/もしくは補完的なビジネスタイプを有する企業を対象に検討中



合算後年間収益が100億円(1億ドル)超のグローバル企業創出を目指す



7

事業目標

成長戦略概要

成長を加速させるための中長期的な方向性

ITを活用した創薬プラットフォーム (StaR®/SBDD)

将来の戦略的成長のために



内部成長

- 前臨床段階ではなく、臨床試験でPOCを取得してから導出することで提携の価値を高める
- ITを活用した創薬の世界的リーディングカンパニーとしての地位を堅持



戦略的成長

- 新たな戦略的技術提携により当社のプラットフォームの可能性を拡大
- 買収、提携を通して既存プラットフォームや買収先とのシナジーを最大化

- 相互に補完し、相乗効果を発揮できる買収を模索中
- 日本市場向け後期臨床開発品の導入

2022年度に優先する目標①

引き続き内部成長と戦略的成長の両輪で今後の成長を推進

2022年期初目標



内部成長

1 1つ以上の価値の高い提携/共同投資の実行

2 1つ以上の前臨床候補品の創出

3 プラットフォームの生産性をより強化



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

2 シナジーのある新規テクノロジーとの協業や投資

3 後期臨床開発品の日本市場への導入

2022年度に優先する目標②

グローバルビジネスにおける持続可能なESG活動の実践

2015年9月に国連で採択されたSDGsの17項目



当社のSDGs注力10項目とESGとの対応



- E**
- サステナビリティ委員会において、エネルギーの有効活用・再生可能エネルギーの推進、および廃棄物の削減・水資源の有効活用を推進
 - 創薬産業の効率化

- S**
- 関美和氏を社外取締役を選任
 - SARS-CoV-2 Mpro阻害剤プログラムを推進し、提携の可能性を追求するため、ウェルカム財団から助成金を受領

- G**
- 新たな取締役会 – 8名中6名が独立社外取締役で構成
 - 投資委員会および科学諮問委員会が取締役会に対して勧告

ESGに関する当社グループの主な指標



環境

研究所での1人当たりCO2排出量

2021年 **3.45トン**

2020年 **3.85トン**

創薬産業の効率化

創薬数ランキング*

6個 54位/2,258社中

ライセンス金額ランキング**

110億ドル+ **7位**/世界中の全製薬企業中



社会

ダイバーシティ

女性管理職比率 **34%**

外国籍従業員比率 **82%**

科学コミュニティへの貢献

掲載論文数 **200+**

構造解析数 **340+**

SBDDをCOVID-19の
グローバルな研究開発に活用



ガバナンス

ガバナンス体制

取締役会の社外取締役比率

75%

取締役会の外国籍取締役比率

37.5%

*直近5年の新規臨床シーズの起源会社の分析。明日の新薬、当社開示資料より作成 **Evaluate Pharma
LINK: <https://www.oseiheptares.com/investors/sustainability.html>



8

認識するリスクおよび対応

当社グループの認識するリスクへの対応①

以下は、成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクです。その他のリスクについては、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

当社グループの認識する主要なリスク

リスクへの対応

業界に関わるリスク

創薬及び初期開発固有のリスク

研究開発の生産性、複雑性やコスト、革新的な開発、業界での急速な企業統合がもたらす関係の変化、特許の有効期限、規制の変更など、業界全体がますます大きな課題に直面しており、大手製薬・バイオ医薬品企業は、業界での競争力を維持するために定期的に事業戦略の見直しを行っています。創薬および初期開発には常に固有のリスクが伴います。当社グループが、提携先とともに、潜在的な医薬品の開発及び商業化を成功させることができる保証はなく、経済的リターンが得られない可能性や無形資産の帳簿価額の減損が必要となる可能性があり、当社グループの財政状態および経営成績に影響がおよぶ可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループの事業戦略は、創薬及び初期開発に注力するというものです。創薬および初期開発における能力を切れ目なく活用するために必要と考えられる、強力な技術プラットフォームとスキルのある従業員を擁しています。また、全ての有望な提携プログラムと長期ベンチャーとの協業を成功させるために、提携先と緊密に連携しています。

商業上のリスク

当社グループは、臨床開発及び商業化のために大手製薬・バイオ医薬品企業にライセンス供与するために、現在、複数の創薬及び初期開発プログラムに継続的に取り組んでいます。実現できない可能性があります。さらに、個々のプロジェクトの存続期間中にライセンスの事業環境が変化したり、プロジェクトの実際の進捗とそれに伴う商業的価値やライセンスを供与した提携プログラムからの受取額が、当初の見積もりから大幅に変動したりする可能性があります。当社グループが提携先へ依存していることも追加的なリスクとなります。例えば、提携先が当社グループの将来の製品に関して十分な時間と資源配分を行わない可能性、または提携により創製された新薬開発候補品の開発の継続及び商業化を行わない可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、創薬から開発にわたる多様でバランスの取れた提携先を確保することにより、これらの創薬及び初期開発固有のリスクや商業上のリスクを軽減しています。

当社グループの認識するリスクへの対応②

当社グループの認識する主要なリスク

リスクへの対応

戦略に関わるリスク

事業戦略の実行に関わるリスク

開発が成功しない新薬開発候補品、または機能しないテクノロジーに対して投資が行われる可能性があります。

投資戦略からのリスク

過去において、当社グループは、非常に有望ではあるものの、実証されていないテクノロジーを有する企業に出資を行ってきました。これらの投資により、重要な価値の転換点への到達につながる、良好なリスクと利益の関係が実現し、ビジネスモデルを加速できる可能性があります。しかし、実証されていないテクノロジーは、無形資産の減損につながる可能性のある失敗のリスクを伴うため、当社グループの財政状態及び経営成績に影響がおよぶ可能性があります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、新薬開発候補品を創製するための自社プラットフォームの活用と、新たな導出あるいは共同投資を可能にする重要な価値の転換を生み出すためのパイプラインの強化に注力しています。

また、投資戦略からのリスクを軽減するために、2020年12期において、評価、および戦略的投資の承認に責任を有する当社の取締役会に対して助言を行う投資委員会を新たに設置しました。また過度な資本リスクに晒されないよう、投資に対しては、リスクとリターンのバランスが適切なものになるようなアプローチを取っています。

財務上のリスク

流動性リスク

収益の発生時期、外部事情及び事業環境の変化により収益性と資金繰りが悪影響を受ける可能性があります。

為替変動リスク

当社グループは、主に日本円、ポンド、米ドルの為替変動の影響を受けます。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

当社グループは、現在、十分な資金を有しており、これらのリスクに対処することができます。このようなリスクを軽減するために、資本増強及び他の借り換え手段活用の選択肢を定期的に見直しています。

また、現在および将来の通貨の需要を管理し、将来の為替リスクを軽減することを目的として、綿密なモニタリングを行うことにより、為替リスクへのエクスポージャーを管理しています。

法的規制およびコンプライアンスに関するリスク

当社グループは、法的規制の遵守、契約及び知的財産権が非常に重要とされるグローバルな業界で事業を行っています。さらに、製薬業界では法的規制が厳格化する傾向にあります。

顕在化の可能性: 中、時期: 特定時期なし

法令および社内規程の遵守を徹底し、法令あるいは社内規定に違反している疑いがある場合には、直ちに直属の管理職またはグループ・チーフ・コンプライアンス・オフィサーに報告することを義務付けています。



9

參考資料

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、作動物資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、作動物資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 ₂ 刺激薬。気管支の交感神経β ₂ 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 ₂ 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考えられている
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