

2021年 3月期 第2四半期 決算説明資料

■ 決算について

■ 前臨床事業：市場とトレンドについて

■ TR事業：

I. 経鼻投与基盤技術について

- ① 経鼻吸収プロジェクト
- ② Nose-to-Brainプロジェクト

II. 重要投資会社について

- ① Wave Life Sciences社の状況
- ② Satsuma Pharmaceuticals社の状況

III. Gemseki社の状況について

2020年11月6日

■ 決算について

■ 連結P/L

実績

	2021年3月期	
	上半期実績	前年同期比
売上高	70.0	+6.1
営業利益	11.6	+0.8
経常利益	13.0	+0.4
当期純利益	11.3	+2.6

(単位: 億円)

(単位: 億円)

売上高



20/3期
上半期

21/3期
上半期

経常利益

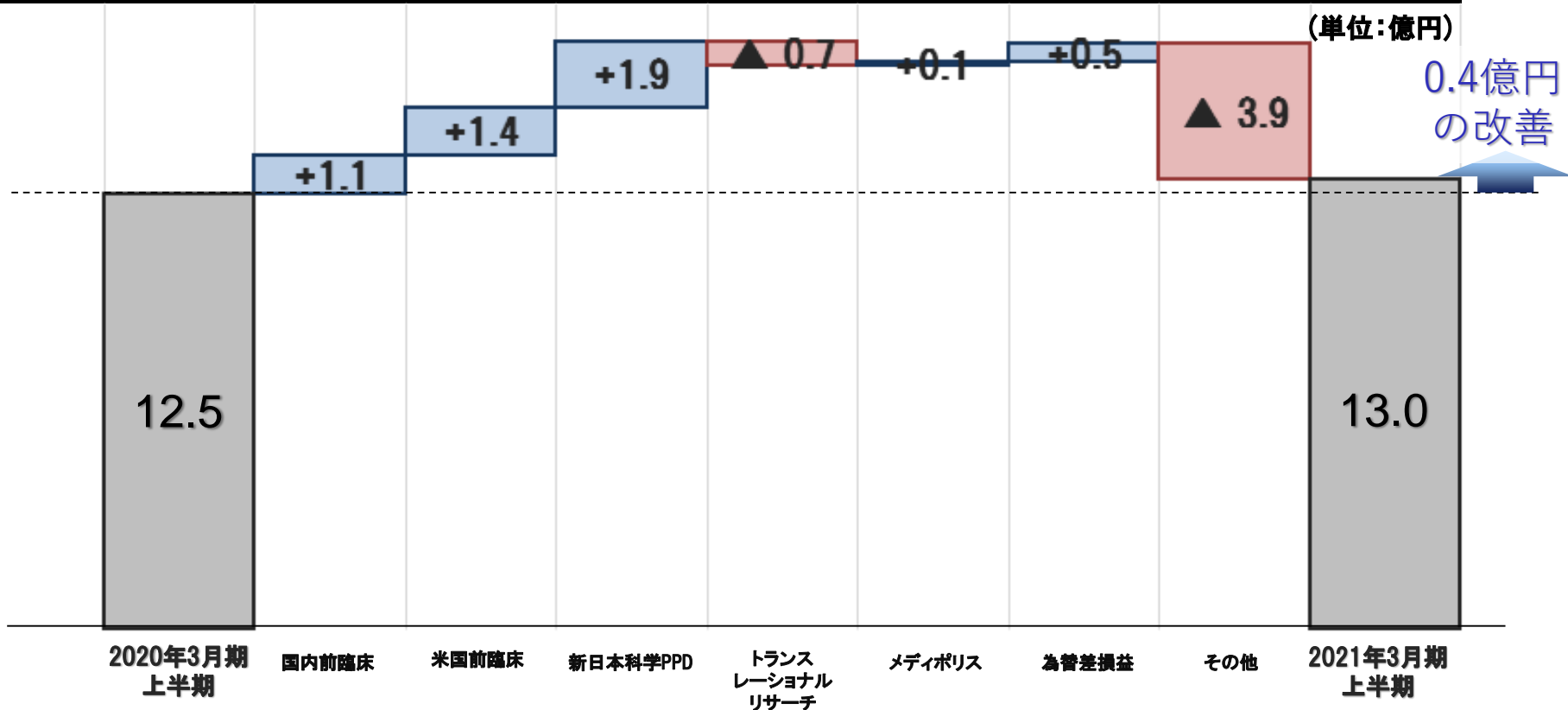


20/3期
上半期

21/3期
上半期

2021年3月期 連結経常損益 前年同期比較

								経常利益 合計
	国内前臨床	米国前臨床	新日本科学 PPD 事業	トランス レーショナル リサーチ事業	メディボリス 事業	為替差損益	その他	
2021年3月期上半期	14.1	1.7	4.6	-3.1	-0.1	-2.7	-1.5	13.0
2020年3月期上半期	13.0	0.3	2.7	-2.4	-0.2	-3.2	2.3	12.5
前年同期比増減額	+1.1	+1.4	+1.9	-0.7	+0.1	+0.5	-3.9	+0.4



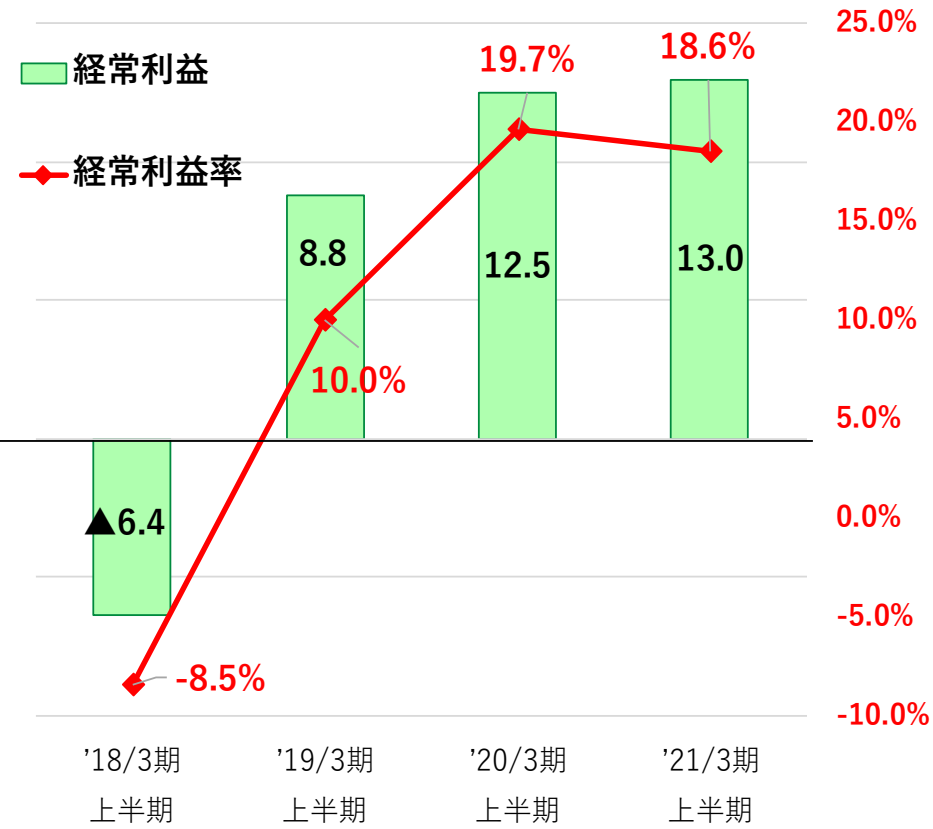
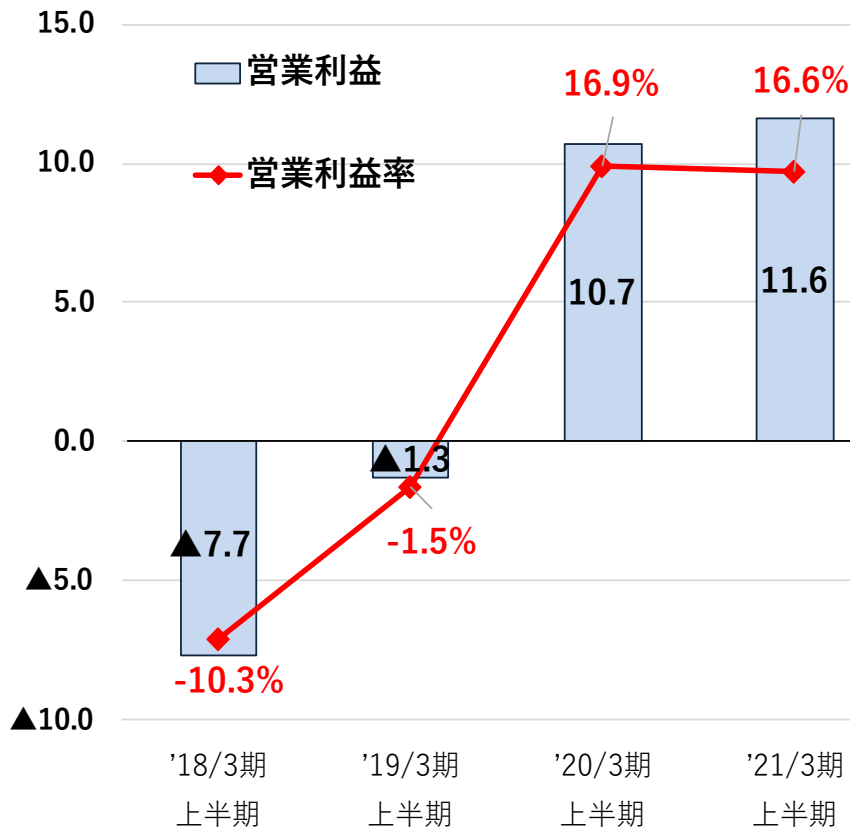
前臨床(CRO)事業 2021年3月期 上半期 受注状況



営業利益

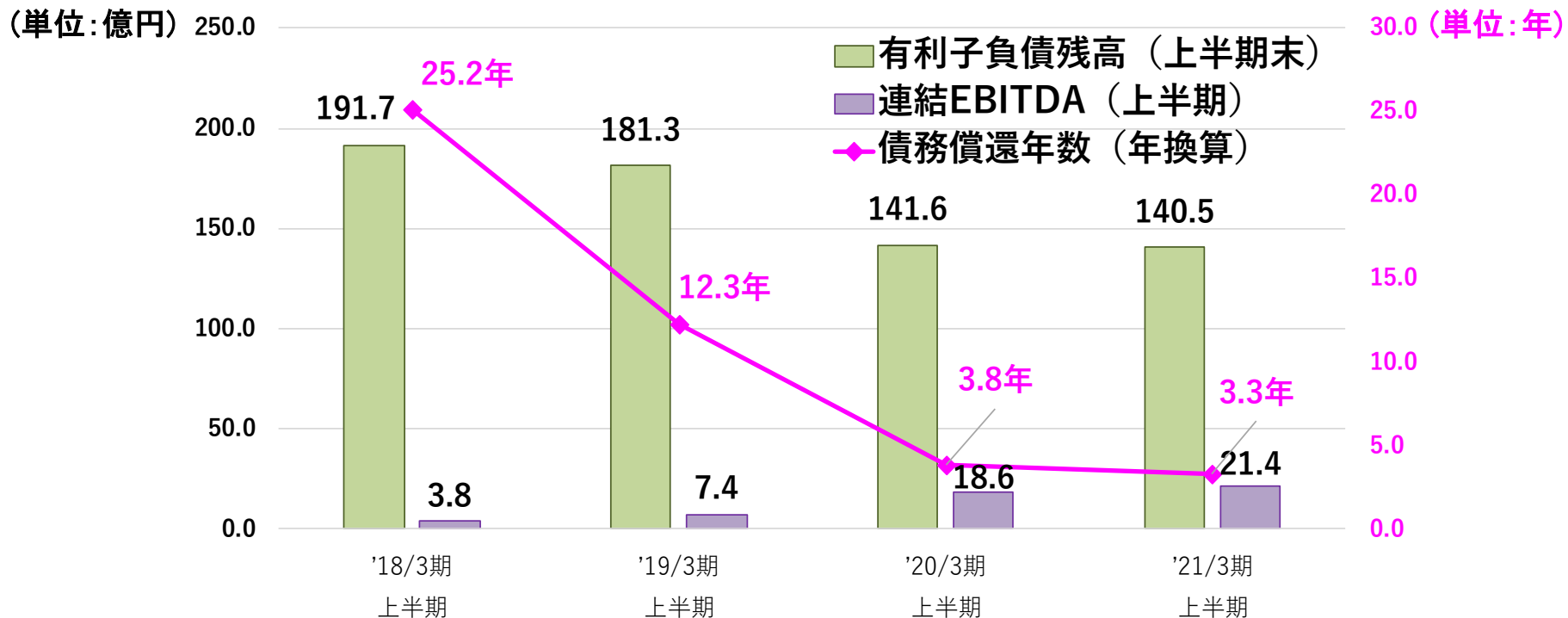
経常利益

(単位: 億円)



経営指標② 上半期推移

	'18/3期 上半期	'19/3期 上半期	'20/3期 上半期	'21/3期 上半期
有利子負債残高（上半期末）	191.7	181.3	141.6	140.5
連結EBITDA（上半期）	3.8	7.4	18.6	21.4
債務償還年数（年換算）	25.2年	12.3年	3.8年	3.3年



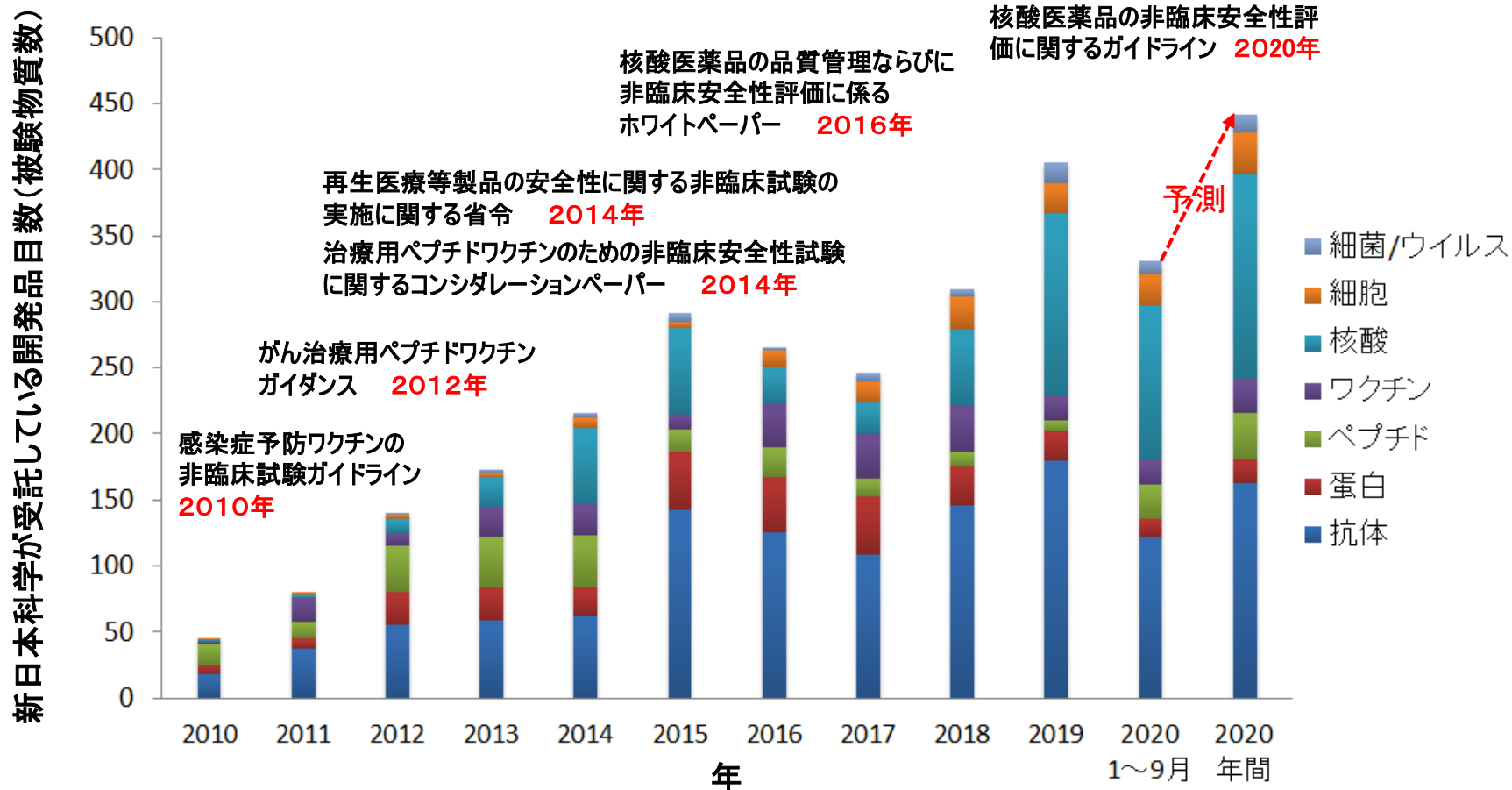
■ 前臨床事業：市場とトレンドについて

前臨床事業 バイオ医薬品の受注動向

■ 各種規制等とバイオ医薬品（低分子化合物を除く）の開発品目数の推移

2020年は1～9月（9ヶ月間）の実績と年間の予測

- ① 9ヶ月間累計実績から、通年では昨年とほぼ同等かそれ以上の増加と予測
- ② 核酸医薬品が堅調に推移、COVID-19ワクチン開発受託が増加



■ TR事業:

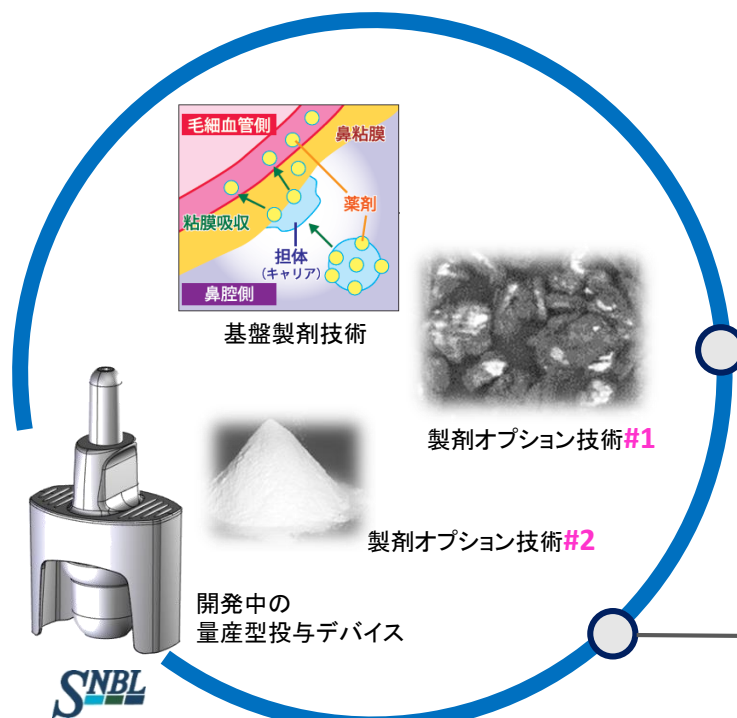
I. 経鼻投与基盤技術について

① 経鼻吸収プロジェクト

② Nose-to-Brainプロジェクト

経鼻投与基盤技術の応用①(経鼻吸収プロジェクト): ～自社開発品の臨床試験準備段階～

- 本自社開発品は、ある疾患の患者に対して、レスキュー投与で、速やかに症状を改善することを企図。
- 新たに開発した製剤オプション技術で、速やかに吸収を高める。
- 現在、臨床第I相試験を準備中。
- これまでの技術を集約した、量産型投与デバイスの設計が完了。



- 新たに開発した製剤オプション技術#1によって、製剤容量を減じることに成功。薬効用量の多い化合物でも経鼻応用が可能になった。
- 新たに開発した製剤オプション技術#2によって、化合物の鼻粘膜吸収性を更に高めることに成功した。
- 安価に製造可能な投与デバイスの設計が完了。将来的な量産が可能となった。

経鼻投与基盤技術

■ TR事業:

I. 経鼻投与基盤技術について

① 経鼻吸収プロジェクト

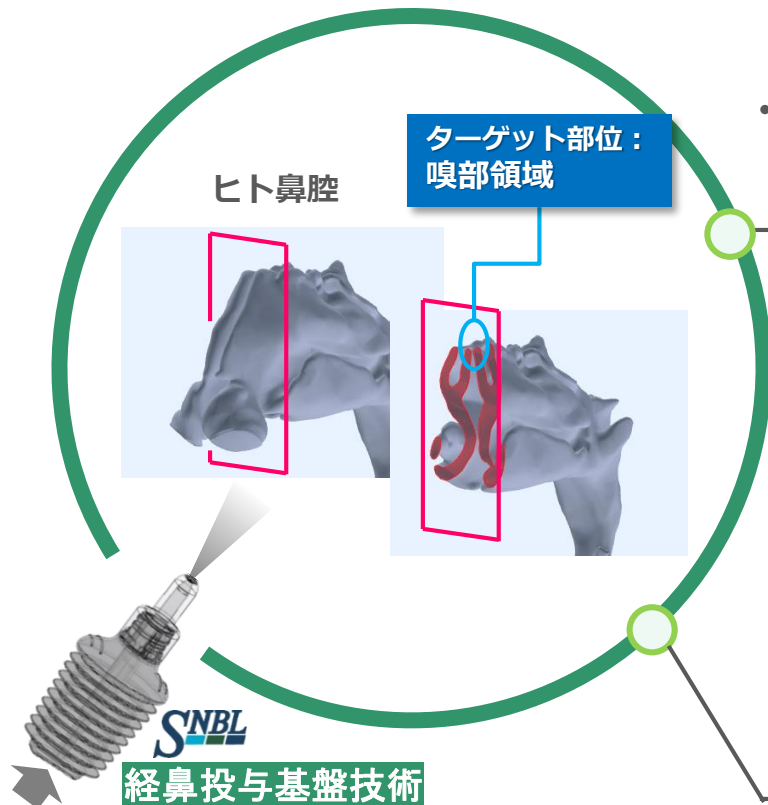
② Nose-to-Brainプロジェクト

経鼻投与基盤技術の応用②(Nose-to-Brainプロジェクト): ～技術開発及び評価が順調に進展～

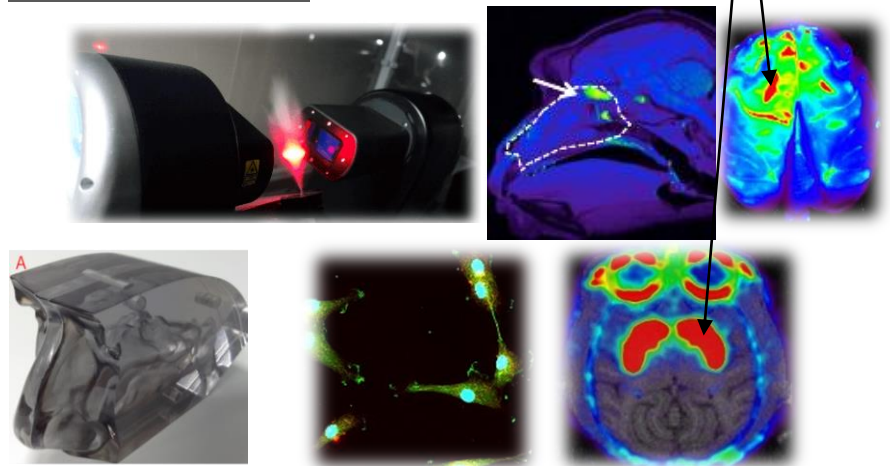
- ・ 薬物脳移行性を更に高める製剤技術と投与デバイス技術の改良研究が進捗。
- ・ アカデミアとの共同研究で分子イメージング法による薬物の脳移行性を確認。
- ・ 大手製薬企業との共同研究が順調に進行中。

・ 中枢神経系疾患のアンメットメディカルニーズは高く、製薬企業での重点開発領域である。

・ 血液-脳関門(BBB)によって中枢に届かない薬剤を嗅部を介した脳への薬物送達技術で到達可能となった。



高度な実験系



■ TR事業:

II. 重要投資会社について

- ① Wave Life Sciences社の状況
- ② Satsuma Pharmaceuticals社の状況

Wave Life Sciences Ltd. 重点開発領域・基盤技術の進捗

- 重点開発領域である中枢神経系疾患プログラム(武田薬品とグローバル共同開発)は、COVID-19の影響は多少あるものの、臨床試験・オペレーションに大きな支障は出ていない。最新の開発進捗状況は下記のとおり。

リード臨床プログラム (PRECISION-HD1/2)

ハンチントン病 (WVE-120101/02) 2つのPh1b/2a試験が進行中:

2021年1Qに PRECISION-HD2, SNP 2; PRECISION-HD1, SNP1の2つのプログラムに対する臨床データを開示予定。同じく2021年1QにUS外の患者に対するOLE試験結果を開示予定。

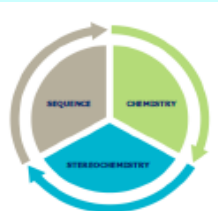
SNP3について2020年4Q中に臨床開発申請予定

筋萎縮性側索硬化症(ALS)、前頭側頭型認知症(FTD)

C9orf72遺伝子を標的とするプログラム

2020年4Q中に臨床開発申請予定

- 基盤技術(PRISM)の向上と自社開発の推進。



100%グローバルの権利

- ・複数の治療モダリティにわたる立体的に単一の核酸医薬
アンチセンス / RNAi / スプライシング
従来のPO/PS骨格に加え、新規PN骨格を有する核酸を開発
→核酸レパートリーを増やし、最適の候補品を選択可とした
- ・新世代治療モダリティ(内在性ADARを活用したRNA編集)
in vivo RNA編集に成功した追加データを公開
CNS/肝疾患のプログラムに適用

- \$100Mの普通株式の公募増資を9月に実施。

Wave Life Sciences Ltd. 臨床開発および共同開発パイプライン

疾患領域	疾患	標的分子	想定患者数(USA)	作用機序	DISCOVERY	PRECLINICAL	CLINICAL	WAVEの商権	パートナー	PRISM	
CNS	ハンチントン病	WVE-120101 mHTT SNP-1	10,000-35,000	アレル特異的サイレンシング			Phase 1b/2a and OLE	50% グローバル	武田薬品	○	
	ハンチントン病	WVE-120102 mHTT SNP-2	10,000-35,000	アレル特異的サイレンシング			Phase 1b/2a and OLE	50% グローバル	武田薬品	○	
	ハンチントン病	WVE-003 mHTT SNP-3	8,000-30,000	アレル特異的サイレンシング				50% グローバル	武田薬品	○	●
	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	WVE-004 C9orf72	1,800	アレル特異的サイレンシング				50% グローバル	武田薬品	○	●
	前頭側頭型認知症(FTD)	WVE-004 C9orf72	7,000	アレル特異的サイレンシング				50% グローバル	武田薬品	○	●
	脊髄小脳失調症(SCA)	ATXN3	4,500	サイレンシング				50% グローバル	武田薬品	○	●
	中枢神経系疾患	Multiple (AD, PDなど)						マイルストーン ロイヤリティ	武田薬品	○	●
	ADAR editing	Multiple			RNA編集			100% グローバル		○	●
肝臓	ADAR editing	Undisclosed			RNA編集			100% グローバル		○	●
眼	網膜疾患	USH2A and RhoP23H		エキソンスキッピング アレル特異的サイレンシング				100% グローバル		○	●

○: Stereopure
●: PN chemistry

■ TR事業:

II. 重要投資会社について

- ① Wave Life Sciences社の状況
- ② Satsuma Pharmaceuticals社の状況

事業進捗のハイライト

- 偏頭痛の急性期治療のための新薬開発会社
- 開発化合物 STS101は、弊社独自の乾燥粉末技術とデバイスを組み合わせた製剤

■ Phase III 臨床試験 (EMERGE)

米国において偏頭痛患者(1,140人)を対象にした臨床試験では、事前に設定した主要評価項目(痛み・煩わしい症状からの解放)について、投薬後3時間以上でプラセボ群と比較して効果が認められたが、投薬後2時間では統計的有意差は認められなかった。

副作用の出現頻度は低く、重篤な副作用は現れず忍容性はクリアした。

現在、データ解析を詳細に行っており、終了後に詳細な事業計画を示す予定。

■ オープンラベル長期安全性試験 (ASCEND)

最大300人の偏頭痛患者を対象にした最長12ヶ月間の試験を8月に開始した。

■ 資金確保

2021年末までの事業運営に必要なとされる資金は確保されている。

■ 偏頭痛:

- ・ 激しい頭痛発作を生じ、神経症状を呈することを特徴とする慢性的、衰弱性神経疾患。
- ・ 米国では約3900万人、ヨーロッパでは1億人以上の罹患者。
- ・ 大人(18-44歳)が最も多く罹患し、罹患率は女性が男性よりも3倍高い。

■ 急性期治療薬:

区分	薬剤	問題点
非特異的療法	NSAIDsなど	片頭痛に特化した治療ではなく、効果が明確でない
特異的療法	経口トリプタン	・患者間や片頭痛のタイプで一貫した効能を示さない ・早い段階の治療が必要 ・いろいろな副作用を示す ・効果の発現がゆっくりでバラツキが大きい など
	既存DHE製品	承認されたDHE製品は臨床用途が限られている ・静脈投与剤は、医療関係者による投与・特殊な機器が必要。 ・液体鼻スプレーは、複雑で時間を要する。吸収が遅く、バラツキが大きい。

■ 既存製品と比べてSTS101の主な特長:

- ・ 即効性、持続性に優れる。
- ・ 個人間で効果のバラツキが小さい。
- ・ 簡便に自己投与が可能。
- ・ 副作用が少ない。

■ TR事業:

III. Gemseki社の状況について



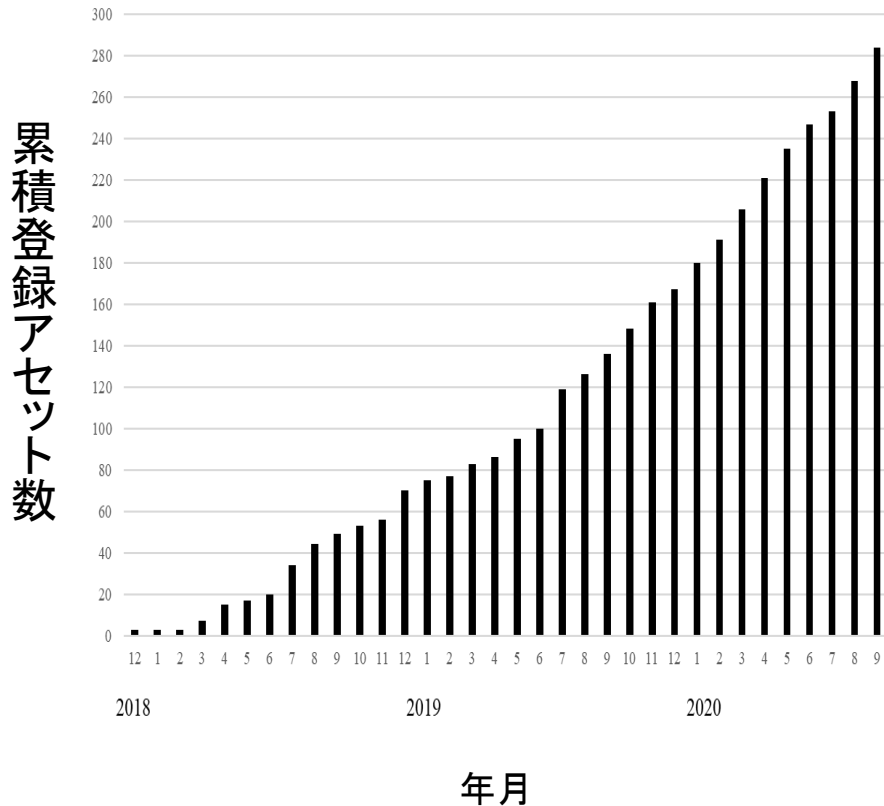
事業開始年月： 2017年10月

事業内容： ① Webを活用した創薬シーズ・技術のライセンス活動の仲介
② ベンチャーキャピタル業務

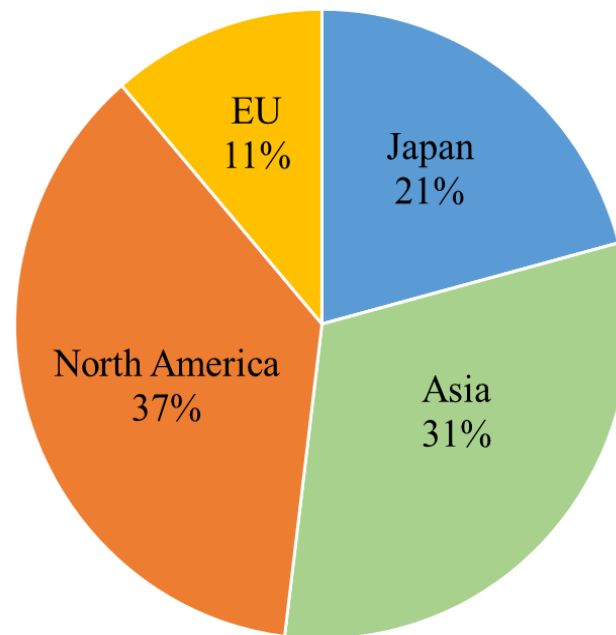


登録シーズはグローバルに急拡大。 事業開発活動のプラットフォームとして認知度向上

累積アセット登録数



国別シーズ登録割合



* 上記は2020年9月30日時点のデータ