

「長期経営計画2031」 一部見直しについて

2025年4月9日
科研製薬株式会社



注意事項

- 本説明資料に記載されている業績予想等は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が合理的と判断したものです。
- 新薬が発売されるまでには、多額の資金と長い開発期間が必要となります。有効性と安全性を確認しながら慎重に開発を進めていくうちには、開発中止となる可能性があります。
- 「現在の主要なパイプライン」は、現時点の開発計画に基づいて作成しております。開発計画の進行に伴い、変更等が発生する可能性があります。
- 医薬品（開発中を含む）に関する情報が含まれていますが、これらは宣伝広告や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。

Agenda

- 1 「長期経営計画2031」一部見直し
- 2 研究開発 2024年度導出品およびFYARRO®の紹介

1 「長期経営計画2031」一部見直し

常務取締役 鈴木 雅

「長期経営計画2031」の概要

■ 2022年5月の公表より約3年が経過

VISION

1. 画期的新薬の迅速な創出・提供により健康寿命延伸に貢献し続ける企業
2. 皮膚科、整形外科領域を中心にグローバルに展開する創薬企業

VISIONの 実現に向けた戦略

“3Xs”

～3つのTransformation～

1st X
研究開発

2nd X
海外展開

3rd X
経営基盤

主要な 目標数値

業績目標

売上高	1,000億円
営業利益	285億円
ROE	10%以上
海外売上高比率	30%以上

投資・株主還元方針

戦略投資

◆ 10年間で2,000億円以上

株主還元

◆ 配当性向：30%以上
◆ 総還元性向：50%以上

3年間の主な成果

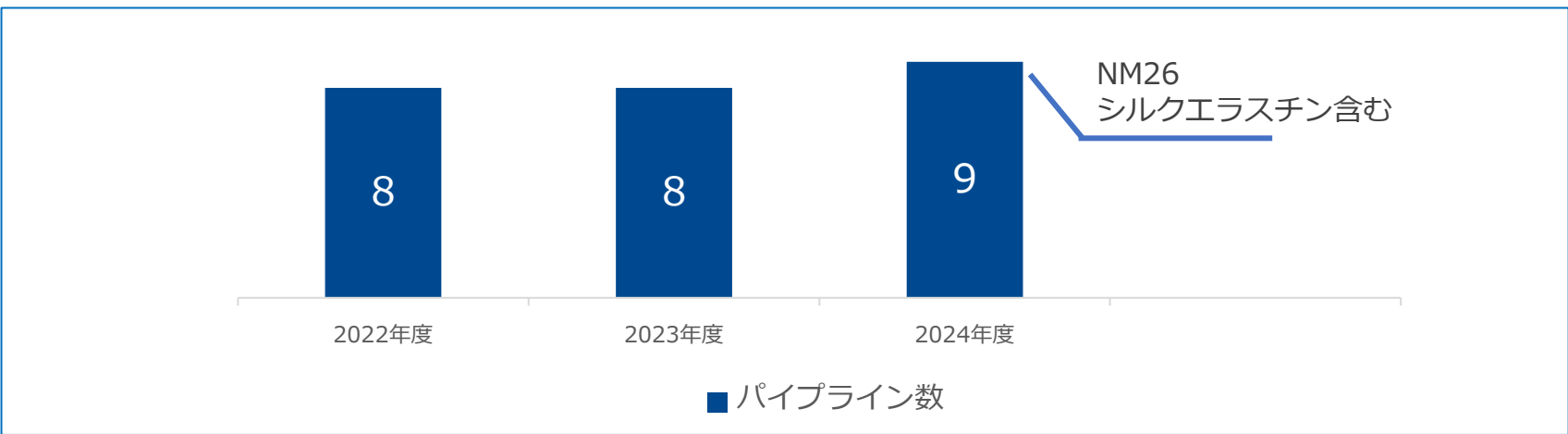
■ 導入・販売提携品・パイプライン数は着実に積み上げ

【 1st X 研究開発】

導入・販売
提携品の
推移

2025年3月末時点で7品目の導入を実施		
チルダセルフォント セラデルパー	エーザイ品 (メスロン/ミオール)	ESK-001 FYARRO ND081 シルクエラスチン
2022年度	2023年度	2024年度

パイプライン
の推移



*パイプラインの推移は2025年3月末時点 詳細についてはAppendix参照

3年間の主な成果

1st X
研究開発

2nd X
海外展開

3rd X
経営基盤

■ 導出案件や海外展開も着実に進捗

【1st X 研究開発】

導出案件

- ✓ NM26の知的財産譲渡及び販売提携オプション契約の締結
- ✓ STAT6阻害剤に関するライセンス契約締結
(Johnson & Johnsonのコーポレート・ベンチャー・キャピタルであるJJDCに対して第三者割当実施)

詳細は
P34-35

参考

■ NM26の知的財産譲渡及び販売提携オプション契約

当社は知的財産を譲渡する対価等として、Numab社及びJohnson & Johnson社より2024年度に契約一時金**8,600万USD**を受領。

今後の開発の進捗に応じたマイルストーン**最大2億5,240万USD**及びアジアでの売上に応じたロイヤリティを見込む。

■ STAT6阻害剤のライセンス契約

STAT 6プログラムのグローバルライセンスをJohnson & Johnson社に許諾する対価として、2024年度に契約一時金**3,000万USD**を受領。

今後の開発の進捗に応じたマイルストーン**最大12億1,750万USD**及び全世界での売上に応じたロイヤリティを見込む。

3年間の主な成果

■ 導出案件や海外展開も着実に進捗

【2nd X 海外展開】

海外展開

- ✓ 米国Aadi Subsidiary, Inc.社買収（子会社化）
- ✓ 韓国ドンファ社による「エクロック」の販売承認申請
- ✓ 欧州アルミラル社によるイタリアでの「クレナフィン」製造販売承認取得、ドイツでの「クレナフィン」販売承認申請
- ✓ 中国AIM社による「クレナフィン」P3試験開始

詳細は
P36-38

参考

■ Aadi社の買収

2024年12月20日、Aadi Subsidiary, Incを1億USDで科研製薬の完全子会社とすることについて合意し、株式譲渡契約を締結（2025年3月26日買収完了）

買収により期待される効果

- 長期経営計画2031における2nd X 海外展開（海外自社販売体制の構築）の実現に向けたステップ
- Aadi Subsidiary, Inc. は、KP-001の米国事業成功に必須の希少疾患領域での販売基盤及びノウハウを有している
- 既販売製品「FYARRO®」の売上に加えAadi社とのシナジー効果を見込んだ海外展開品の確保の可能性

3年間の主な成果

■ 経営基盤の確立も着実に進捗

【3rd X 経営基盤】

経営基盤

- ✓ プロフェッショナルとして活躍し、柔軟に変革に対応できる強い組織基盤の確立
 - ・ 長期経営計画開始後3年間のキャリア（プロフェッショナル人材）採用年間平均人数比 約6倍（2021年度比）
 - ・ 階層別研修の新設やリスキリング機会の提供（オンライン学習サービスの導入）
 - ・ 従業員のワークライフバランス充実に向けた就業環境整備
 - ・ 健康経営優良法人の認定を取得
- ✓ 医療関係者向けウェブサイトリニューアルによりデジタルを活用した最適な情報提供活動の基盤整備

【業績目標】

業績目標

- ✓ 2026年度目標を2年前倒しで達成見込み

2026年度業績目標

売上高	800億円	ROE	8%以上
営業利益	180億円	海外売上高比率	10%以上

「長期経営計画2031」－現状分析－

現状分析

長期経営計画2031の検討・策定から3年が経過するなか、
さまざまに変化した当社内外の事業環境に対応

事業環境の変化*

- ➡ 導入件数及びパイプライン数の増加
- ➡ 導出案件の早期実現
- ➡ 海外展開の進展

- ➡ クレナフィンパテントクリフ対策の進捗の遅れ
- ➡ 「選定療養」制度による長期収載品への影響
- ➡ 研究開発費用の高騰
- ➡ 導入・M&A市場の競争激化

*長期経営計画の達成に対して、➡ positive ➡ negative

2025年3月期第2四半期決算説明会でお示した通り
事業環境の変化に伴い長期経営計画2031の
一部見直し行う



「長期経営計画2031」一見直しの基本的な考え方

見直しの考え方

- 企業価値向上には、画期的、革新的新薬の継続的な上市が不可欠であり、**戦略投資金額を増額**
- 業績やキャッシュフローの不確実性及びボラティリティの高まりを見据えつつ**財務規律を維持**
- 重要なステークホルダーである株主・投資家への**株主還元を強化**

主な見直し内容

- A) 戦略3Xsの追加・変更
- B) 戦略投資金額の見直し
- C) 株主還元方針の見直し
- D) 上記B),C)を踏まえつつ、財務規律を意識したキャッシュアロケーションの見直し

「長期経営計画2031」－施策の追加及び変更点①－

■ 3Xsの更なる推進に向け、追加施策及び目標を変更

項目	2031年度までの当初目標	追加及び変更点
1st x	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 10年間で8品目上市 (P1以降PJを常時6品目以上) ➤ 毎年1品目以上の開発導入品or販売提携品を確保 	<div>変更</div> <ul style="list-style-type: none"> ➤ 10年間で8品目上市 (P1以降PJを常時8品目以上) ➤ 毎年1品目以上の導入を目指し、海外展開品もターゲットとして推進
2nd x	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 海外売上高比率25%以上 <ul style="list-style-type: none"> ・ 海外展開品の充実 ・ 海外自社開発体制の整備 ・ 生産・海外自社販売体制の整備 	<div>追加</div> <ul style="list-style-type: none"> ➤ FYARRO®事業の継承及び安定的な運営 ➤ 欧州展開方針の検討 ➤ Aadi社とのシナジーを見込んだ製品の確保
3rd x	<ul style="list-style-type: none"> ➤ 社員一人ひとりがプロフェッショナルとして活躍し、柔軟に変革に対応できる強い組織基盤の確立と効率的なオペレーション構築による企業価値の向上 	<div>追加・具体化</div> <ul style="list-style-type: none"> ➤ 高度な専門知識を持つ人材の積極的な採用 ➤ 従業員向け株式給付信託（ESOP）の導入 ➤ 営業のCRM*活用により情報提供活動を最適化し製品価値の最大化を図る

*CRM(Customer Relationship Management)：顧客との関係性、コミュニケーションを管理し、それぞれの顧客へ最適な対応を行うことで、関係性を維持・向上させる取り組み

「長期経営計画2031」一施策の追加及び変更点②一

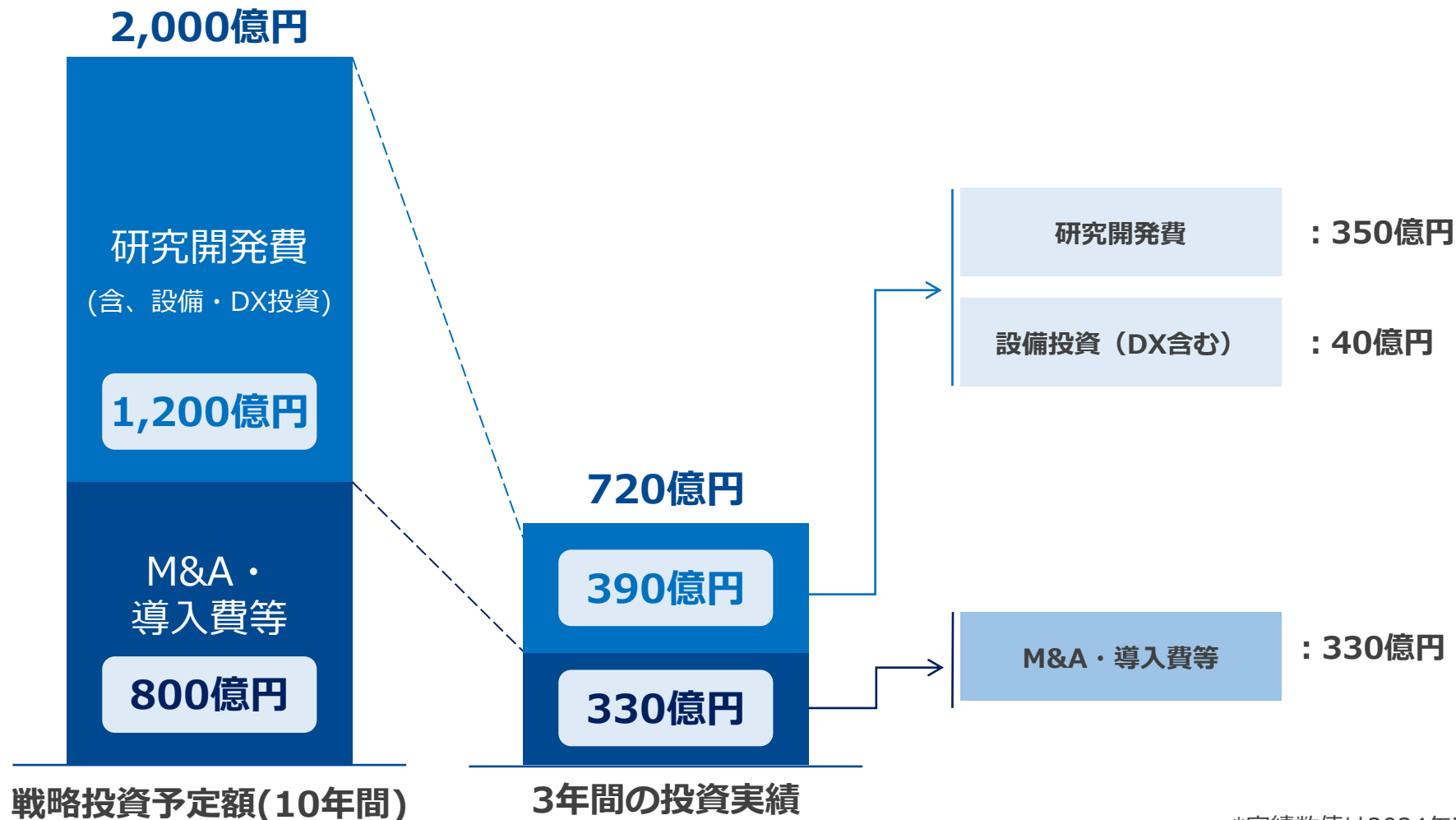
■ 戦略投資金額及び株主還元方針を変更

項目	2031年度までの当初目標	追加及び変更点
戦略投資	<ul style="list-style-type: none">➤ 10年間で2,000億円以上	<div>変更</div> <ul style="list-style-type: none">➤ 10年間で2,600億円以上
株主還元方針	<ul style="list-style-type: none">➤ 配当性向：30%以上➤ 総還元性向：50%以上	<div>変更</div> <ul style="list-style-type: none">➤ 2024年度の配当（190円）を下限としつつ、配当性向30%以上、総還元性向50%以上*➤ 株主還元7年間総額500億円以上
その他		<div>追加</div> <ul style="list-style-type: none">➤ 会計基準をIFRSへ早期に移行を検討

*IFRSの導入を見据え、「親会社株主に帰属する当期純利益から戦略投資にかかる一時金等の影響を除いて算出」は行わない

戦略投資の進捗状況

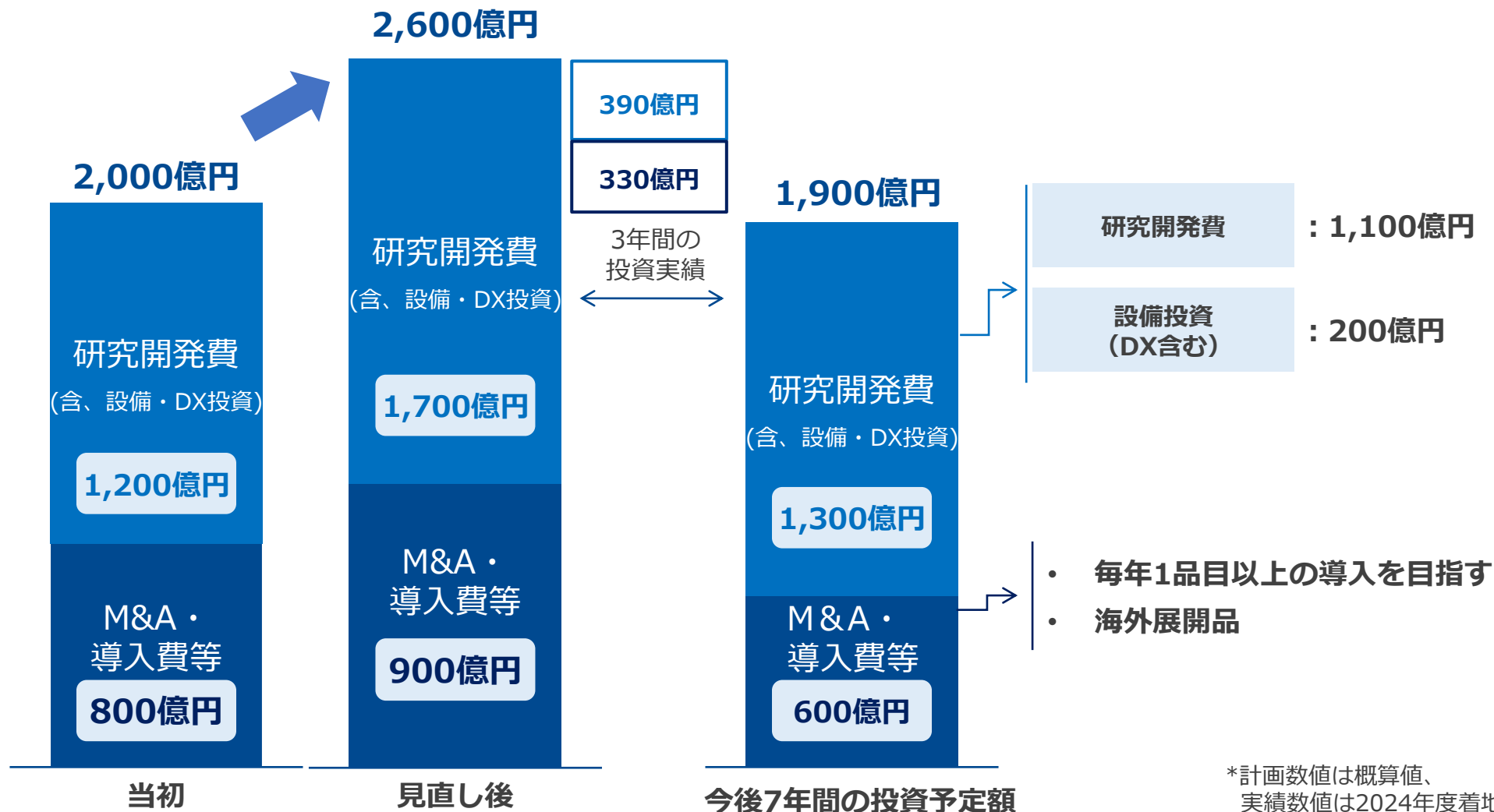
- 3年間で約720億円と着実に投資を実行



*実績数値は2024年度着地見込み

戦略投資金額の見直し（～2031年度）

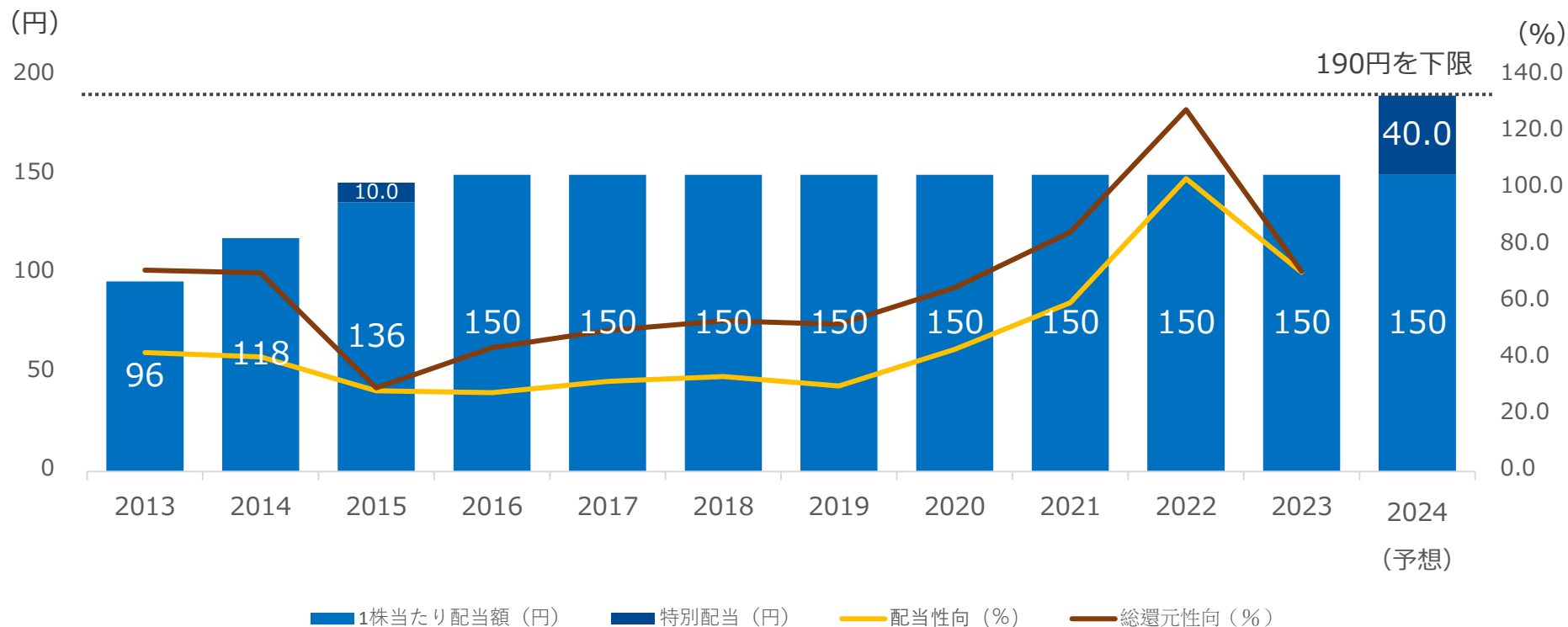
- 当初計画より600億円増やし、2031年度までに2,600億円以上を投じる



*計画数値は概算値、
実績数値は2024年度着地見込み

株主還元方針の見直し

- 特別配当を実施した2024年度の配当金額（190円）を下限としつつ業績拡大局面も見据え配当性向30%以上、総還元性向50%以上*とする



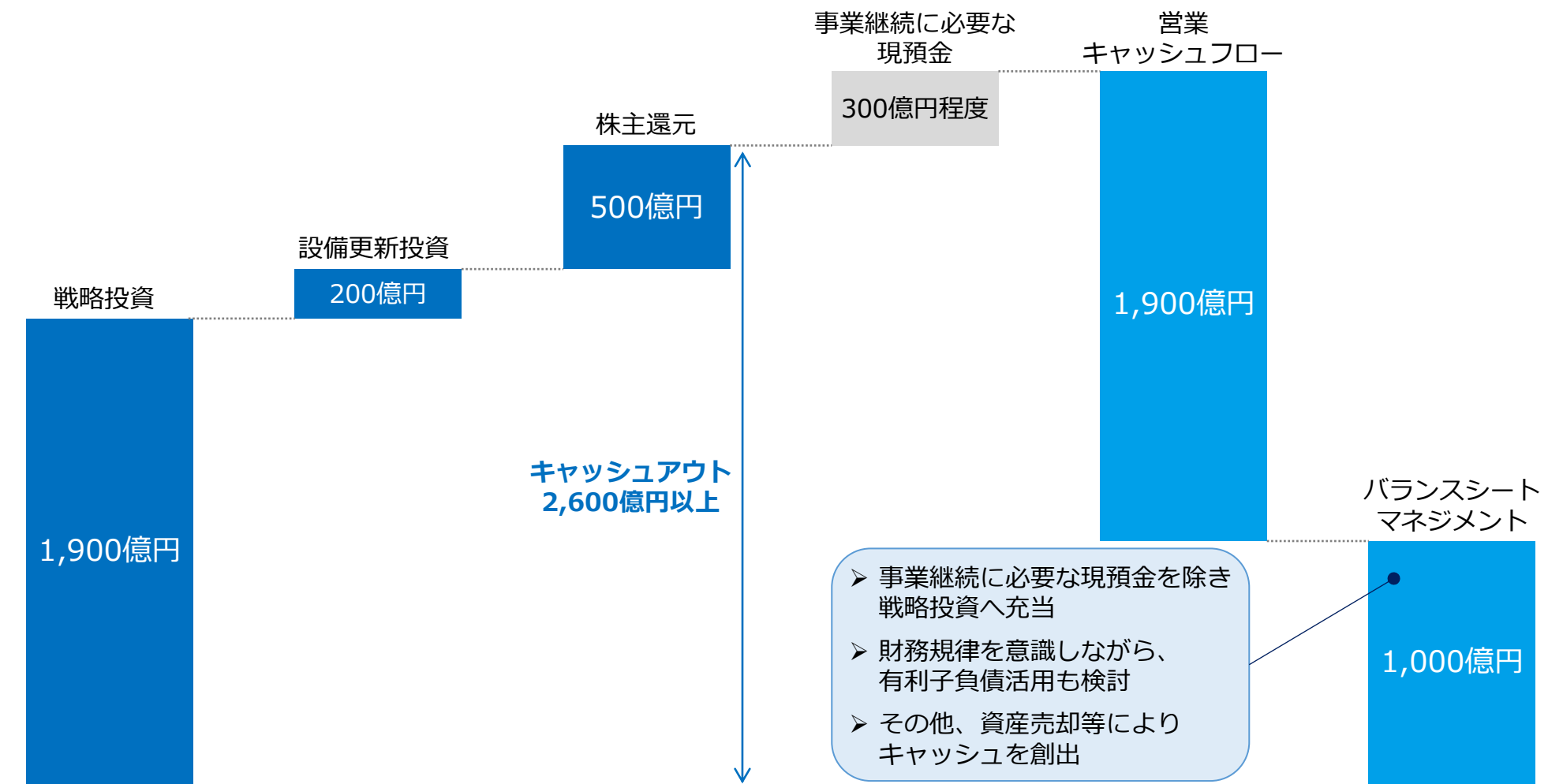
* IFRSを導入予定のため、「親会社株主に帰属する当期純利益から戦略投資にかかる一時金等の影響を除いて算出」は行わない

※ 2015年10月1日付で普通株式2株につき1株の割合で株式併合が行われたため、それ以前の配当金額は併合の影響を考慮した額にしております

キャッシュアロケーションの見直し（2025～2031年度）

Cash-Out
Cash-In

■ 戦略投資・株主還元原資などをバランスシートマネジメントも活用し創出



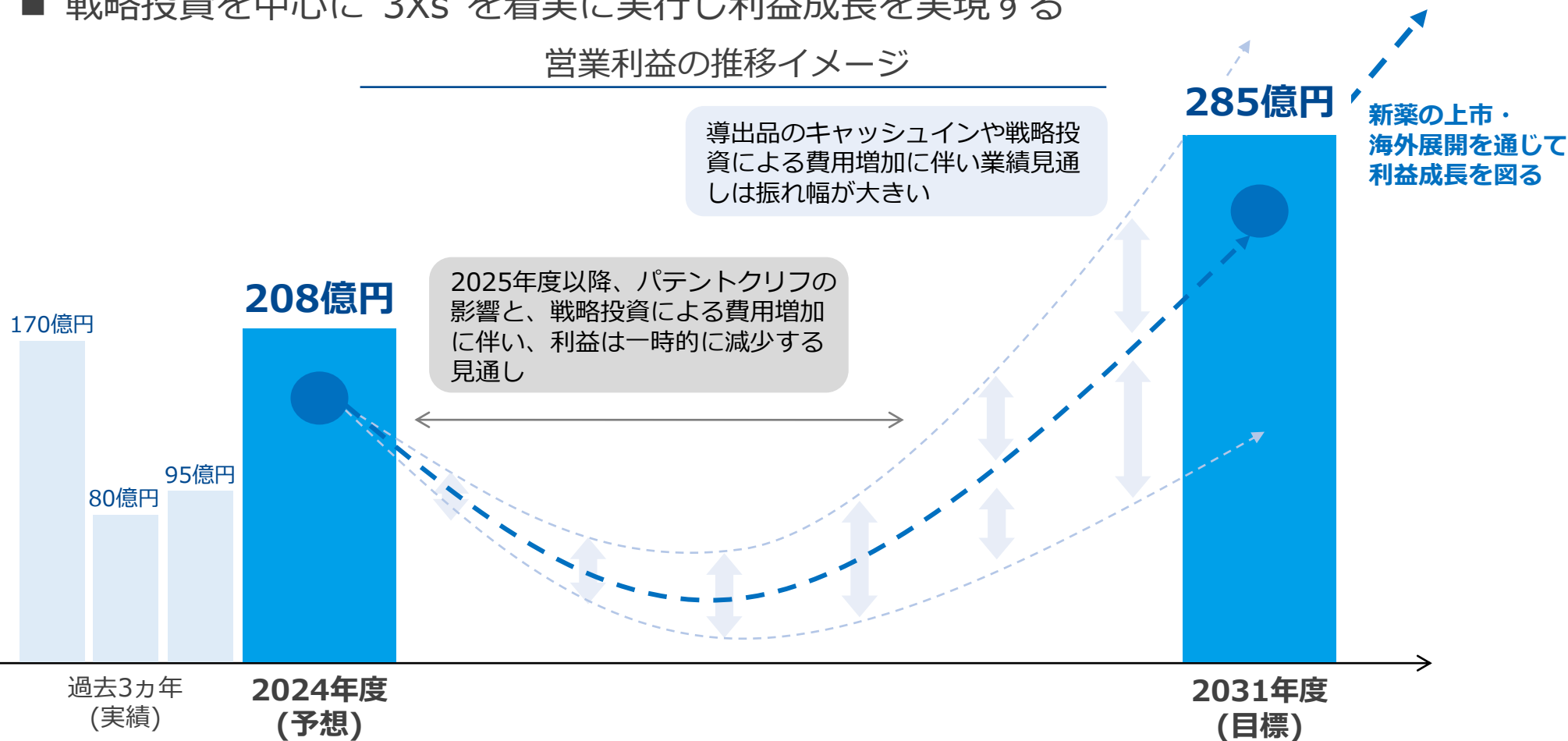
*計画数値は概算値、実績数値は2024年度着地見込み

※ 営業C Fは、研究開発費、導入一時費用等を控除せずに算出

「長期経営計画2031」 期間中の業績動向イメージ

- クレナフィンパテントクリフの影響もあり、利益が一時的に減少する見通し
- パテントクリフの影響や戦略投資費用の増加、導出品のキャッシュインの状況により業績見通しは振れ幅が大きい
- 戦略投資を中心に“3Xs”を着実に実行し利益成長を実現する

営業利益の推移イメージ

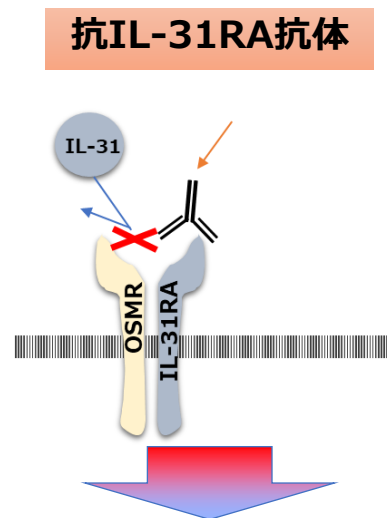
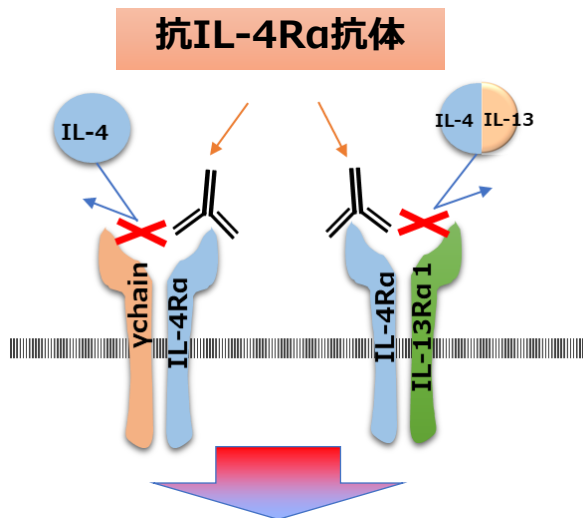


2 研究開発 2024年度導出品およびFYARRO®の紹介

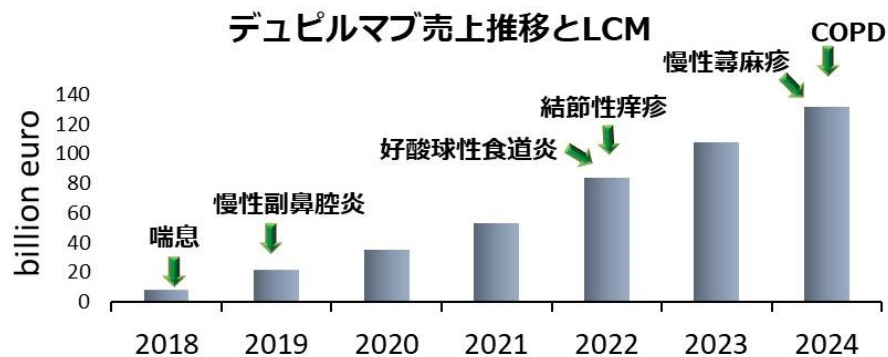
取締役 研究開発本部長 綿貫 充

- NM26 アトピー性皮膚炎の治療を目的とした二重特異性抗体
- STAT 6 阻害剤への期待
- 血管周囲類上皮細胞腫瘍治療剤 FYARRO®

NM26 アトピー性皮膚炎の治療を目的とした二重特異性抗体



(作図) 科研製薬



➡ 効能追加 (グローバル)

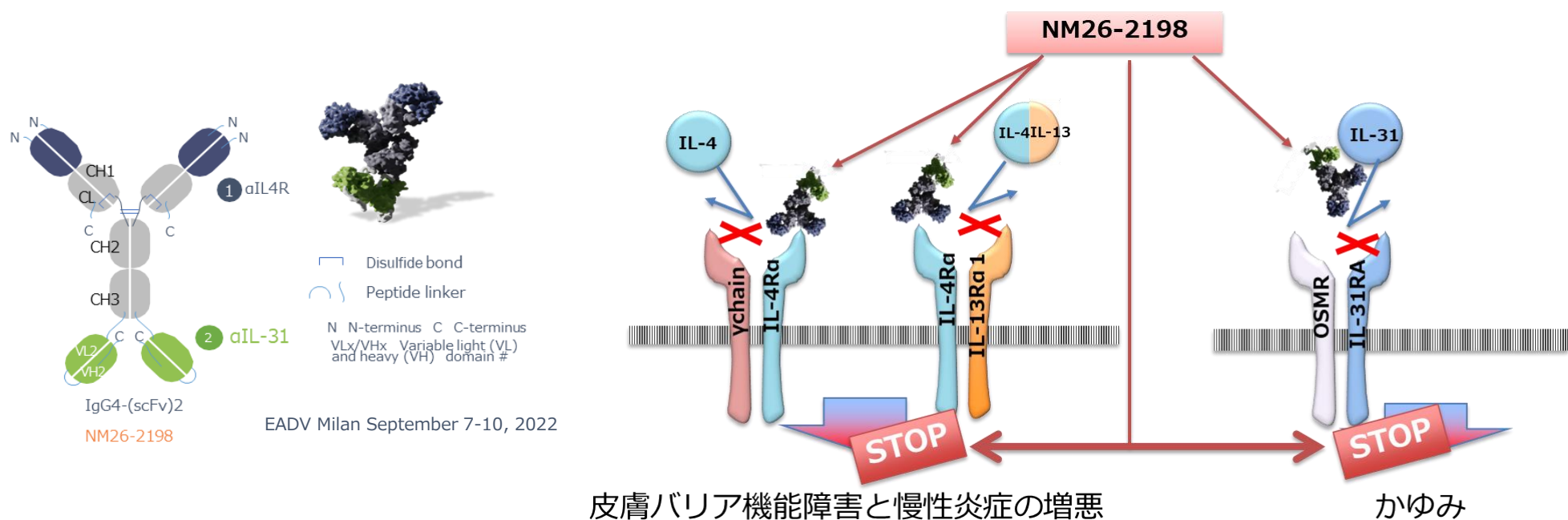
(出典) Sanofi HP開示資料より作図

✓ デュピルマブの2024年売上は2兆円以上標的に基づく適切な効能追加が売上に寄与

IL-4RaおよびIL-31RAは、アトピー性皮膚炎のプロミッシングな標的である

NM26 アトピー性皮膚炎の治療を目的とした二重特異性抗体

- アトピー性皮膚炎の治療を目指す二重特異性抗体
- IL-4RaとIL-31の2つの標的に同時に結合
- IL-4/IL-13シグナル伝達の阻害と、IL-31の中和を一剤で制御する



(作図) 科研製薬

NM26-2198はたった1つの抗体でアトピー性皮膚炎の主訴をブロック

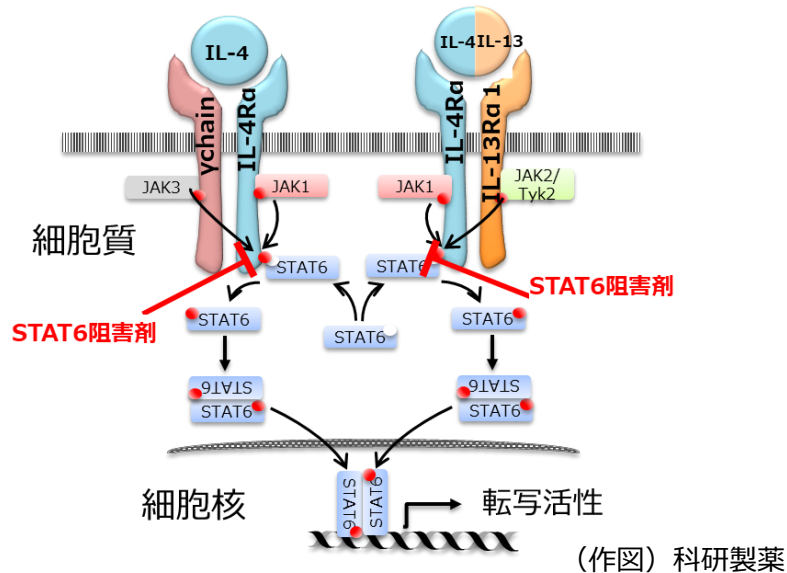
STAT 6 阻害剤への期待

STAT 6 : IL-4/IL-13シグナルのマスター転写因子

STAT6は多くの作用を有する

- ・ Th2細胞の分化促進（免疫応答）
- ・ IgE産生の促進（B細胞への作用）
- ・ 気道過敏性（喘息・アレルギー反応）

その阻害剤は広範囲の2型炎症に対する治療薬となる可能性があり、期待が集まっている



デュピルマブとSTAT6阻害剤の違い

• 標的の違い

抗体は細胞外のIL-4Rαを阻害
STAT6阻害剤は細胞内のシグナル伝達を直接阻害

• 作用範囲の違い

抗体はIL-4/IL-13のみに特化した阻害薬
STAT6阻害剤はSTAT6関連シグナルを広く阻害

• 投与経路の違い

抗体は注射剤（皮下投与）
STAT6阻害剤は経口剤



2024年12月26日

各位

会社名 科研製薬株式会社
代表者名 代表取締役社長 堀内 裕之
(コード番号 4521 東証プライム市場)
問合せ先 広報IR部 近藤 康彦
(TEL. 03-5977-5002)

STAT6 阻害剤に関するライセンス契約締結のお知らせ

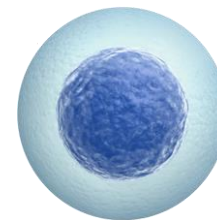
科研製薬株式会社（本社：東京都文京区、社長：堀内裕之、以下「科研製薬」）は、科研製薬が2型炎症性疾患（アトピー性皮膚炎、喘息など）に対する次世代の経口治療薬として開発中の「STAT6 プログラム」（以下「本プログラム」）に関するグローバルにおける開発、製造及び商業化に関する独占的なライセンスを Johnson & Johnson に許諾する契約（以下「本契約」）を本日締結いたしましたのでお知らせいたします。

**注目度と完成度の高さから
Johnson & Johnsonとライセンス契約締結へ**

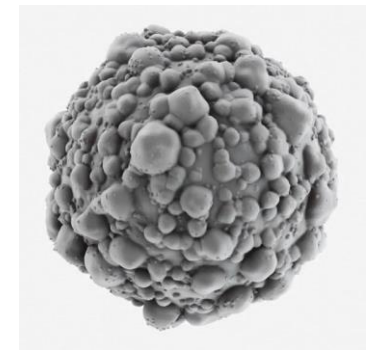
その後は Johnson & Johnson が世界的な臨床開発及び商業化を行います。日本国内においては

血管周囲類上皮細胞腫瘍 (Primary Perivascular Epithelioid Cell Tumor : PEComa)

- 進行性悪性 PEComa は、軟部組織肉腫として知られる特定の種類の癌
- PEComa の「PEC」は、腫瘍を構成する細胞の種類である血管周囲上皮様細胞を指す。肉腫は、脂肪、血管、筋肉、神経などの骨や軟部組織に形成されるまれな種類の癌
- 悪性 PEComa は非常に悪性度が高く、体の他の部分に広がる可能性がある腫瘍
- 悪性 PEComa が初期段階で発見された場合、手術で除去できる場合がある
- 局所進行性または転移性悪性 PEComa とは、手術で除去できない、または体の他の部分に広がった (転移した) PEComa



正常細胞

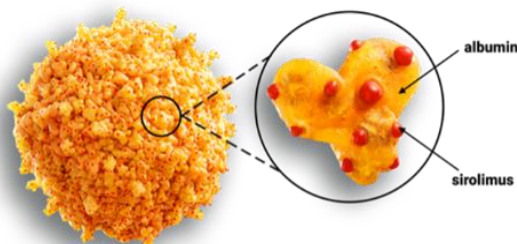


PEComa細胞

(出典) FYARRO® web page <https://www.fyarro.com/>

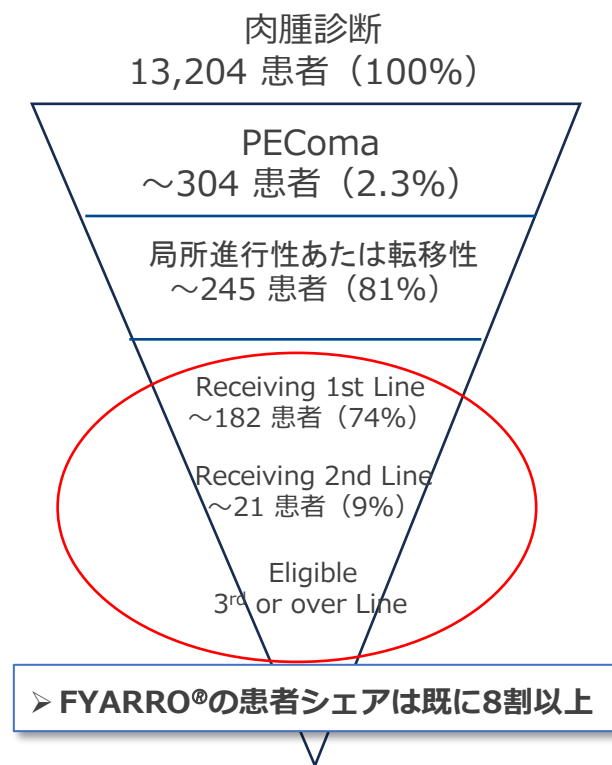
2021年11月にFDA承認 2022年2月に米国にて販売開始

- 体表面積1 m²あたり100 mgを静脈内注射。3週間を1クールとして、1日目と8日目に投与
- 有効成分であるシロリムスはmTOR（mammalian Target Of Rapamycin）阻害剤で、過剰な細胞増殖に関わる遺伝子の働きを阻害
- FYARRO®はナノ粒子技術を使用し、腫瘍内により多くのシロリムスを取り込ませてmTORの抑制作用を増強
- 米国PEComa患者のシェアは8割以上で、安定したシェアが見込まれる



（出典）FYARRO® web page <https://www.fyarro.com/>

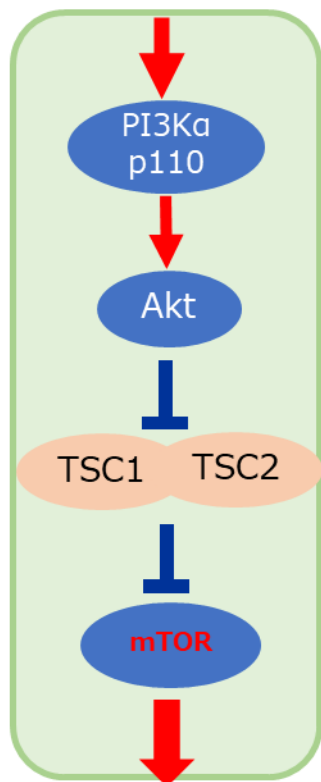
米国での疫学データとFYARRO®の使用状況



（出典）FYARRO® tracking Pulse- Wave 6（March 2024）

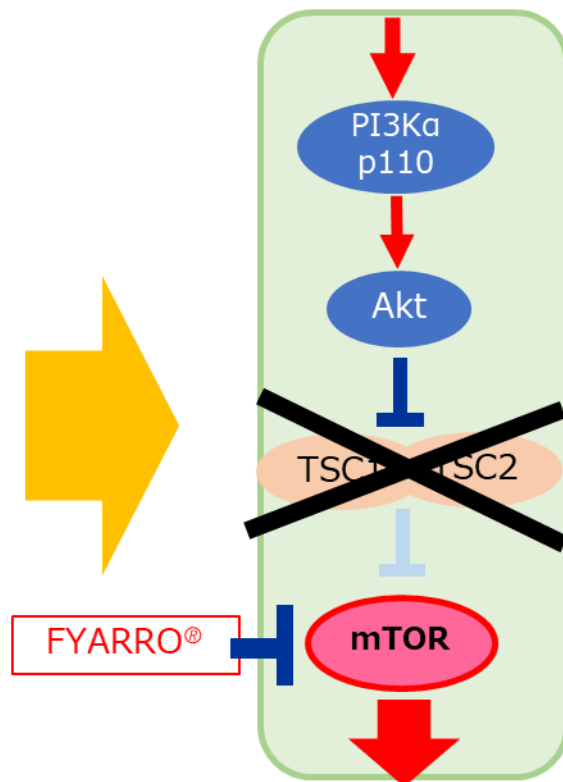
PEComaの原因となる経路の遺伝子変異およびFYARRO®の作用

血管周囲類上皮細胞



細胞増殖

血管周囲類上皮細胞



細胞過剰増殖

■ PEComaの原因

PEComaはTSC1またはTSC2遺伝子の変異を伴うことが多く、これによりmTORシグナルが過剰に活性化され、腫瘍の増殖や血管新生が促進される

■ FYARRO®の作用

mTORを阻害することで、PEComaの細胞増殖や血管新生を抑制し、腫瘍の進行を抑える。特にTSC1/TSC2変異によるmTOR活性化が関与するPEComaにおいて有効

■ KP-001とのシナジー

FYARRO®の作用点のmTORは、KP-001の作用点であるPI3Kαの下流遺伝子である。

血管周囲類上皮細胞腫が希少疾患であることから、FYARRO®の販売網・マーケティング戦略がKP-001の米国展開に活用できる

(作図) 科研製薬

Appendix

主要なパイプライン

■ 自社創薬・導入

プロダクト	開発段階※	診療領域	予定適応症	備考
KAR	PⅢ	皮膚科	アタマジラミ症	アーバー・ファーマシューティカルズ社より導入（海外での製品名：Sklice）
KP-001	PⅢ	形成外科、小児科、 皮膚科	難治性脈管奇形	—
KC-8025 (Seladelpar)	PⅢ	消化器内科、肝臓内科、 内科	原発性胆汁性胆管炎	シーマベイ・セラピューティクス社より導入 同社は2月にギリアドサイエンス社に被買収
KP-483	PⅠ	—	固形がん (がん免疫療法)	自社創薬品
KP-910	PⅠ	神経内科、整形外科、 ペインクリニック科	末梢性神経障害性疼痛	自社創薬品
チルダセルフォント	PⅠ	小児科、内科	先天性副腎過形成症	スブルース・バイオサイエンス社より導入
KP-001（米国）	PⅠ	形成外科、小児科、 皮膚科	難治性脈管奇形	PⅢの実施に向けてFDAに相談中

※2024年11月8日現在、治験届の準備期間を含む。

パイプラインの状況他

■ 日本での販売提携契約の交渉オプション権を有する開発品の状況

プロダクト	予定適応症	開発段階	備考
NM26-2198	アトピー性皮膚炎	P I	ジョンソン・エンド・ジョンソン社(J&J社)へ知的財産を譲渡し、治験実施中

■ ライセンス契約を締結した開発品の状況（医療機器）

申請名	予定する使用目的 又は効果	開発段階	備考
シルクエラスチン 創傷用シート	創傷治療	申請中	ライセンス元の三洋化成工業株式会社より製造販売承認を申請中

■ 海外導出品の状況

一般名 (日本販売名)	予定適応症	開発段階	導出先（開発国）
エフィナコナゾール (クレナフィン)	爪白癬	申請中	アルミラル社（欧州（ドイツ、イタリア））
エフィナコナゾール (クレナフィン)	爪白癬	P III	AIM社（中国）
ソフピロニウム臭化物 (エクロック)	原発性腋窩多汗症	申請中	ドンファ社（韓国）

※2024年11月8日現在

参考 | 「NM26」の知的財産譲渡及び販売提携オプション契約の締結

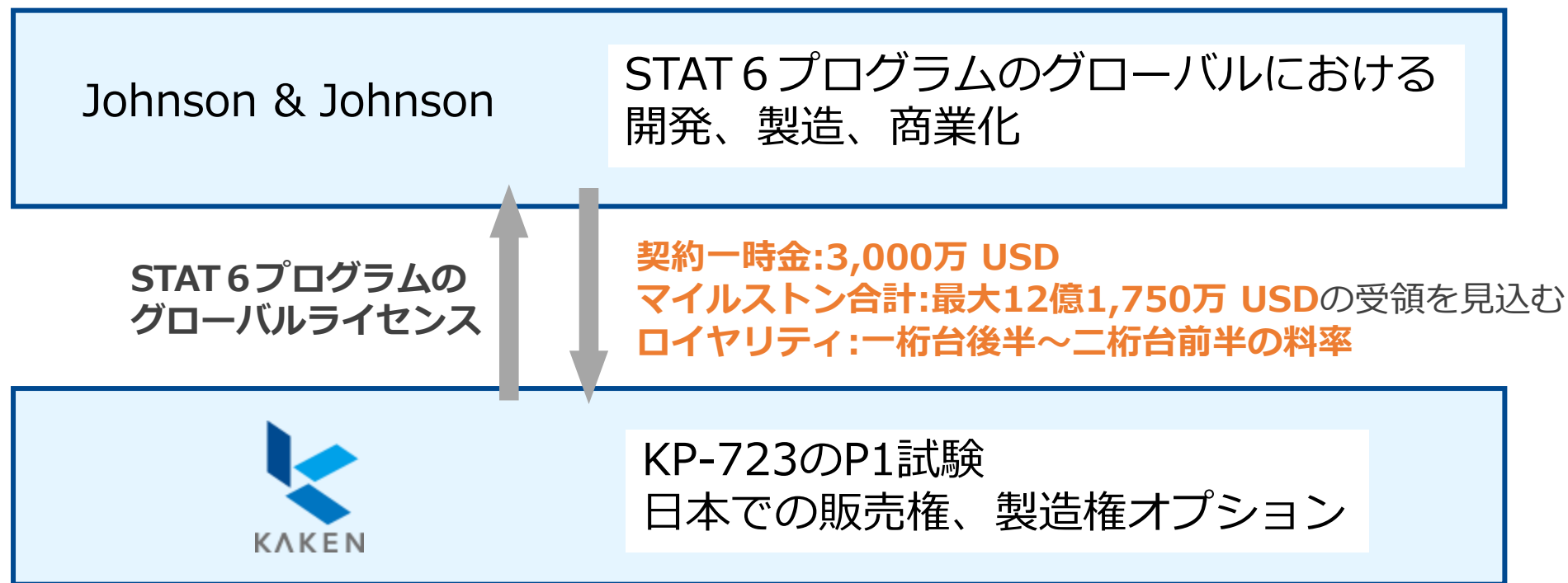
- 2024年5月28日にNM26-2198の知的財産譲渡及び販売提携オプション契約を締結
- NM26-2198はアトピー性皮膚炎を対象としたNumab社との**共同開発品**である
- 今後は、**開発の進捗及び売上の目標達成に応じたマイルストーン収入及びアジアでのロイヤリティ**を見込む



※詳細については2024年5月29日ニュースリリース参照

参考 | STAT6阻害剤に関するライセンス契約締結

- 2024年12月26日にJohnson & Johnson社と「STAT6」阻害剤に関するライセンス契約を締結
- 科研製薬がP1試験完了まで進め、その後はJohnson & Johnson が世界的な臨床開発及び商業化を行う
- 科研製薬は契約一時金その他、開発の進捗及び売り上げの目標達成に応じたマイルストン収入及びロイヤリティを見込む



※詳細については2024年12月26日ニュースリリース参照

参考 | 米国 Aadi Subsidiary, Inc.社買収（子会社化）

- 2024年12月20日、Aadi Subsidiary, Incを1億USDで科研製薬の完全子会社とすることについて合意し、株式譲渡契約を締結（2025年3月26日買収完了）



グローバル展開可能なKP-001を保有



希少がんの製品（FYARRO®）を有する米国企業

Hi-tech products :
FYARRO®



買収により期待できる効果

- 長期経営計画2031における2nd X 海外展開（海外自社販売体制の構築）の実現に向けたステップ
- Aadi Subsidiary, Inc. は、KP-001の米国事業成功に必須の希少疾患領域での販売基盤及びノウハウを有している
- 既販売製品「FYARRO®」の売上に加えAadi社とのシナジー効果を見込んだ海外展開品の確保の可能性

※詳細については2024年12月20日ニュースリリース参照

■ 買収の概要

対象会社	・ Aadi Subsidiary, Inc.（以下、Aadi社） （2025年3月26日に Aadi Bioscience, Inc. に社名変更）
本社	・ 米国ニュージャージー州モリスタウン
買収対象	・ FYARRO®事業を担うAadi社の全発行済み株式 （パイプラインは買収対象外）
買収目的	・ 米国における自社販売拠点の獲得 ・ Aadi社が有する希少疾病用医薬品のプラットフォーム及び 販売ノウハウの獲得
事業内容	・ 希少疾患用医薬品FYARRO®の製造販売

■ Aadi Bioscience, Inc.の概要

Aadi Bioscience, Inc.（現 Whitehawk Therapeutics, Inc.）は、「mTOR阻害剤を用いた新しいがん治療薬の開発」を目的として2007年に設立されました。特に、希少がんや難治性がんの患者に向けて、安全かつ効果的な治療オプションを提供することをミッションに掲げていました。

■ FYARRO®開発の経緯

創設者のNeil Desai博士は、がん治療におけるmTOR経路の重要性に着目し、効果的な治療薬の開発を目指し、nabテクノロジー（ナノ粒子アルブミン結合技術）を活用したmTOR阻害剤「nab-sirolimus（FYARRO®）」を開発しました。

■ FYARRO®の販売

FYARRO®は血管周囲類上皮細胞腫瘍治療薬として2021年11月にFDA承認を受け、2022年2月よりAadi Bioscience, Inc.の子会社であるAadi Subsidiary, Inc.が販売しておりました。



KAKEN

科研製薬株式会社