

2020年 3月期 第2四半期 決算説明会

■ 決算について

専務取締役 CFO 二反田 真二

■ 事業戦略の概要

代表取締役会長兼社長 CEO 永田 良一

■ トピックス

(Ⅰ) 前臨床事業の市場・トレンド

代表取締役副社長 COO 高梨 健

(Ⅱ) Wave社及びSatsuma社の状況

(Ⅲ) TR事業のさらなる展開(プロジェクトの進捗)

常務執行役員 金指 秀一

2019年11月21日

■ 決算について

専務取締役 CFO 二反田 真二

2020年3月期 上半期 業績ハイライト

■連結P/L

上半期/実績

(単位:億円)

	2019年 3月期 上半期	2020年3月期 上半期			
		当初計画	実績	当初計画比	前期比
売上高	88.8	59.8	63.8	+4.0	△24.9
営業利益	△ 1.3	0.6	10.7	+10.0	+12.1
経常利益	8.8	0.9	12.5	+11.6	+3.7
当期純利益	9.1	0.2	8.7	+8.5	△0.3

2020年3月期 上半期 業績ハイライト

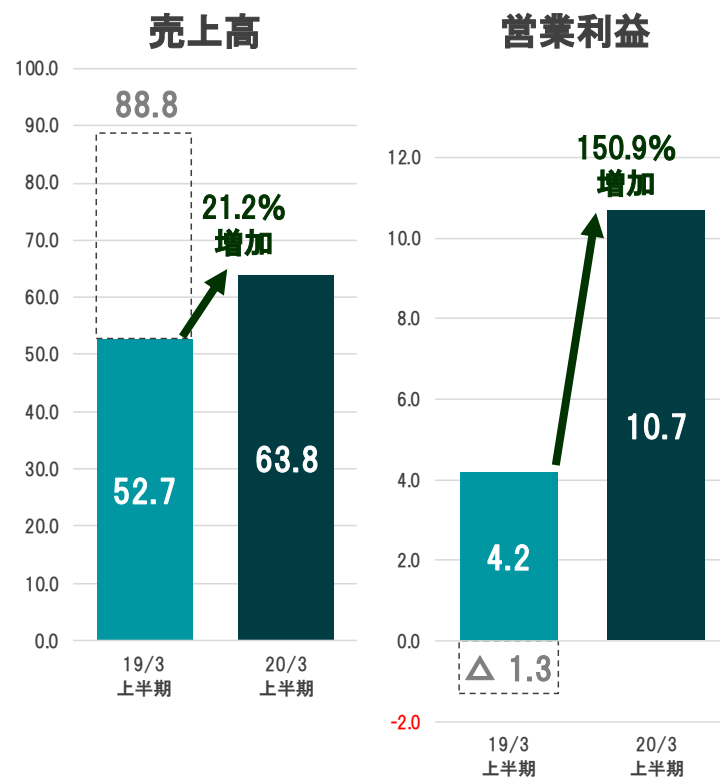
■連結P/L

上半期/実績

(単位: 億円)

	2019年 3月期 上半期	2020年3月期 上半期	
		実績	前期比
売上高	52.7	63.8	+11.1
営業利益	4.2	10.7	+6.4

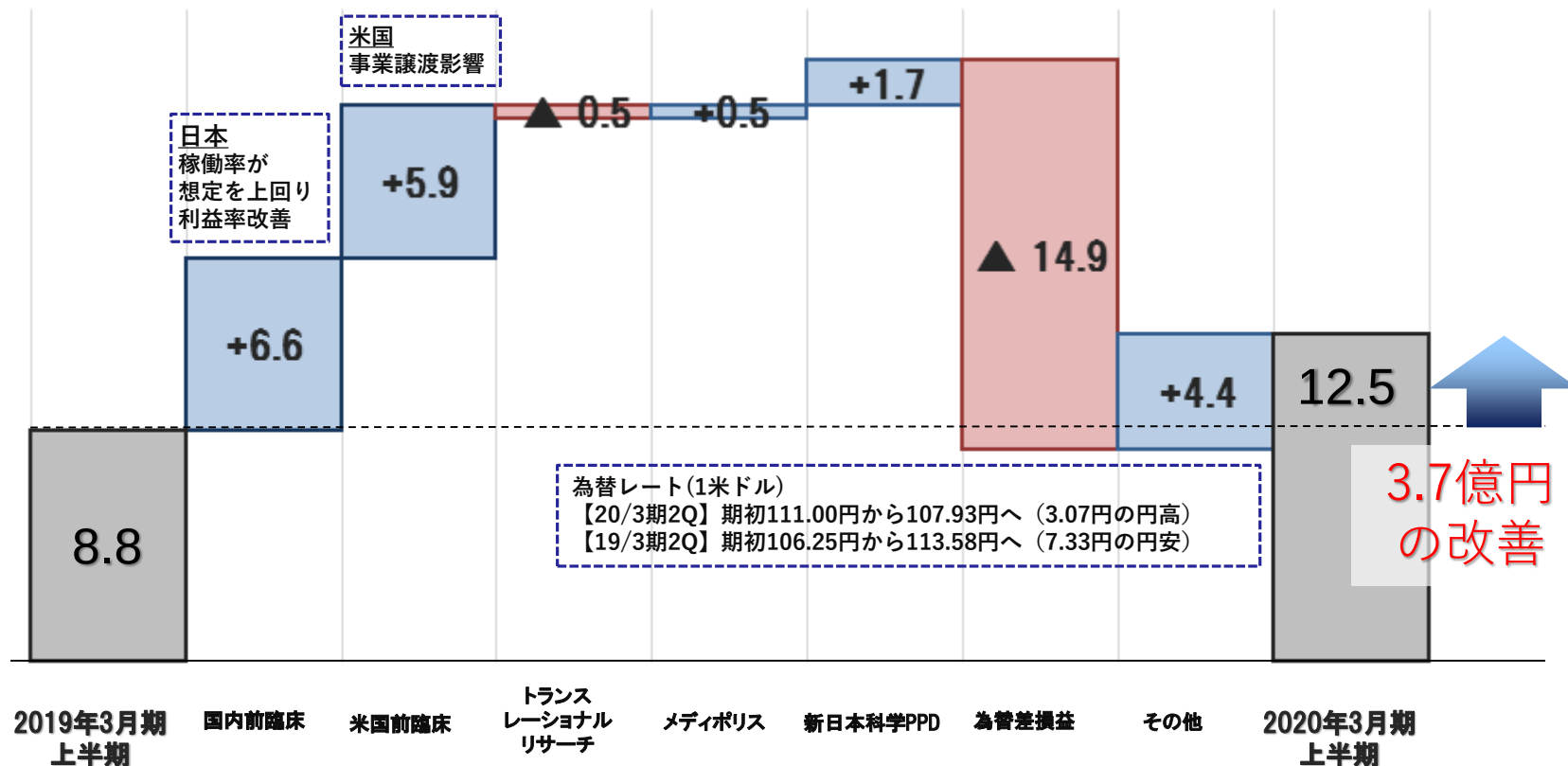
事業譲渡(前期)の影響を除く



2020年3月期 上半期 連結経常損益 前期比較

(単位:億円)

	国内前臨床	米国前臨床	トランス レーショナル リサーチ事業	メディボリス 事業	新日本科学 PPD 事業	為替差損益	その他	経常利益 合計
2019年3期 上半期	6.4	-5.6	-1.3	-0.7	1.0	11.7	-2.7	8.8
2020年3期 上半期	13.0	0.3	-1.8	-0.1	2.7	-3.2	1.7	12.5
前期比増減額	+6.6	+5.9	-0.5	+0.5	+1.7	-14.9	+4.4	+3.7



2020年3月期 通期業績予想を上方修正

■連結P/L

通期/業績予想修正

(単位:億円)

	2019年 3月期	2020年3月期			
		通期 当初計画	通期 修正予想	前期比	当初計画比
売上高	156.5	144.6	144.6	△11.9	-
営業利益	8.2	15.0	18.0	+9.7	+3.0
経常利益	16.1	15.5	20.0	+3.8	+4.5
当期純利益	19.5	12.5	14.0	△5.5	+1.5

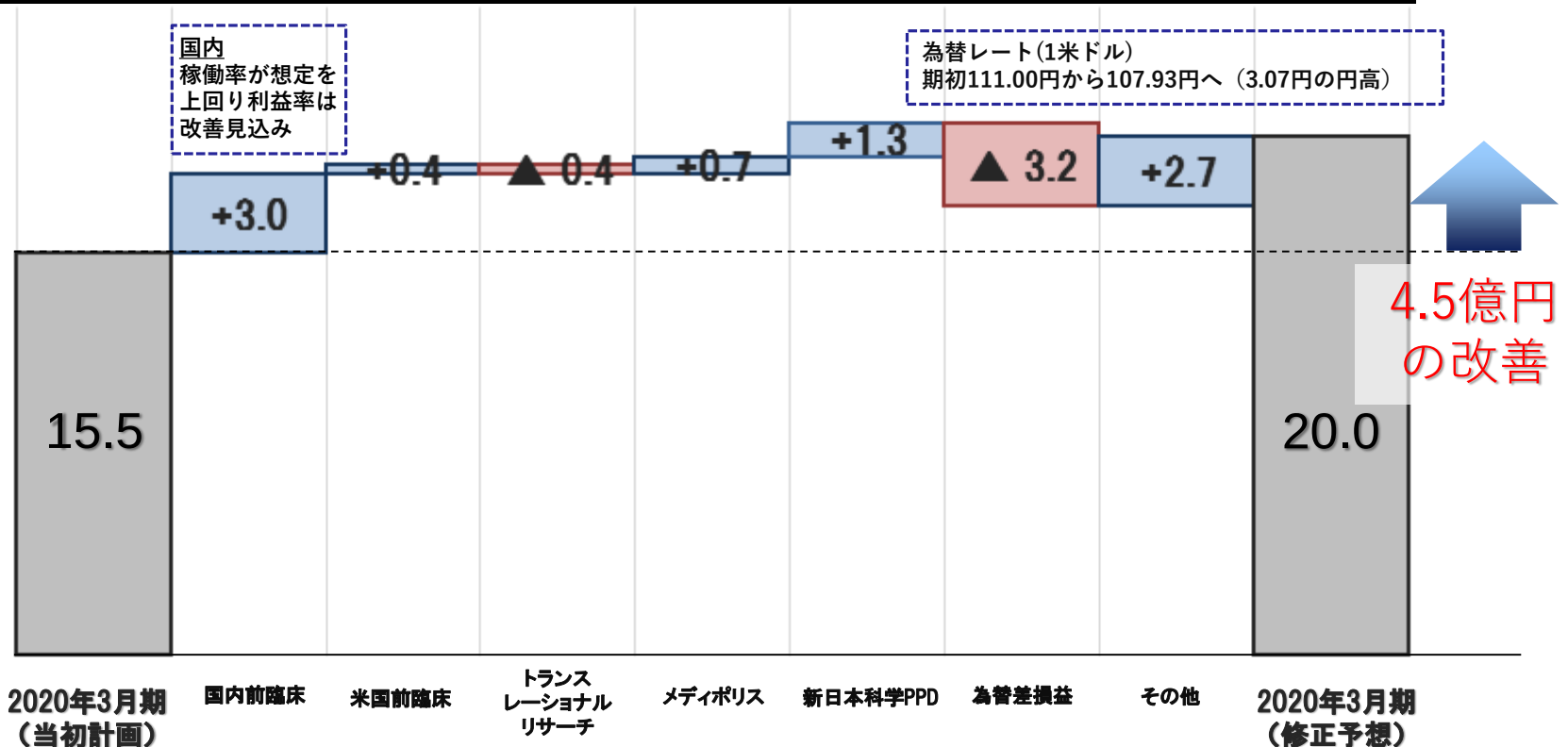
前提条件

- ・期初為替レート 111.00円/米ドル
- ・第2四半期末為替レート 107.93円/米ドル
- ・通期修正予想 第2四半期末為替レートを据え置き

2020年3月期 通期連結経常損益 当初計画比較

(単位: 億円)

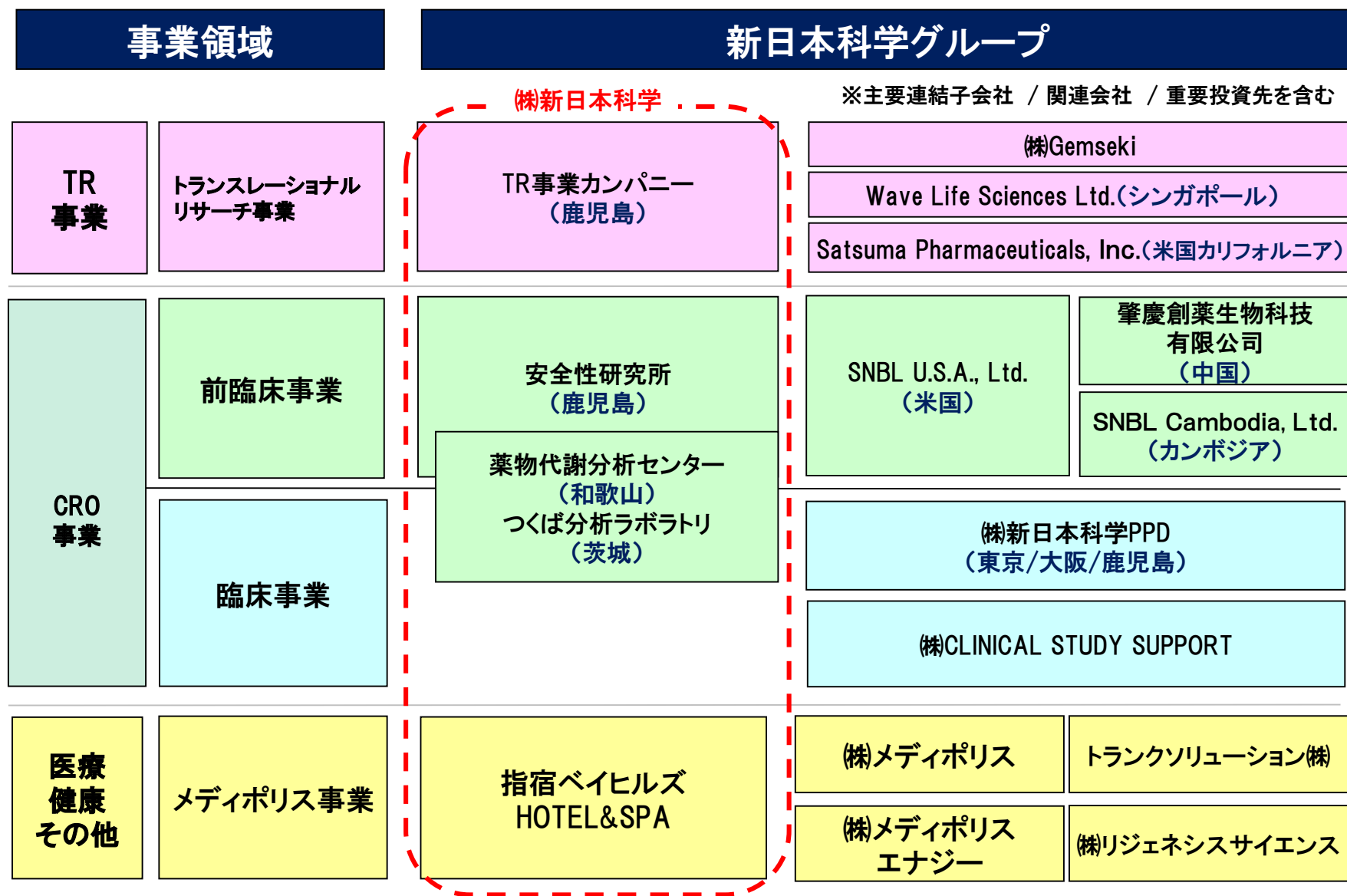
	国内前臨床	米国前臨床	トランス レーショナル リサーチ事業	メディボリス 事業	新日本科学 PPD 事業	為替差損益	その他	経常利益 合計
2019年3月期 前期実績	18.0	-4.1	-2.9	-2.3	5.2	7.5	-5.3	16.1
当初計画	22.3	0.2	-5.1	-1.0	4.1	0.0	-5.0	15.5
修正予想	25.3	0.6	-5.5	-0.3	5.4	-3.2	-2.3	20.0
増減額	+3.0	+0.4	-0.4	+0.7	+1.3	-3.2	+2.7	+4.5



■ 事業戦略の概要

代表取締役会長兼社長 CEO 永田 良一

新日本科学グループのビジネスポートフォリオ



各事業領域における展開と進捗

前臨床事業

【国内】大手製薬企業からの**包括的契約受託獲得**。
【海外】米国前臨床事業譲渡以降、グローバル営業（米国及びアジア）を強化、
海外からの受注が伸張。

臨床事業

PPD社との合併会社、**新日本科学PPDは好調**に推移。
子会社CSS社とPPDグループEvidera社とのパートナーシップ契約締結
リアルワールドデータ(RWD)活用のグローバル展開を開始。

トランスレーショナル リサーチ事業

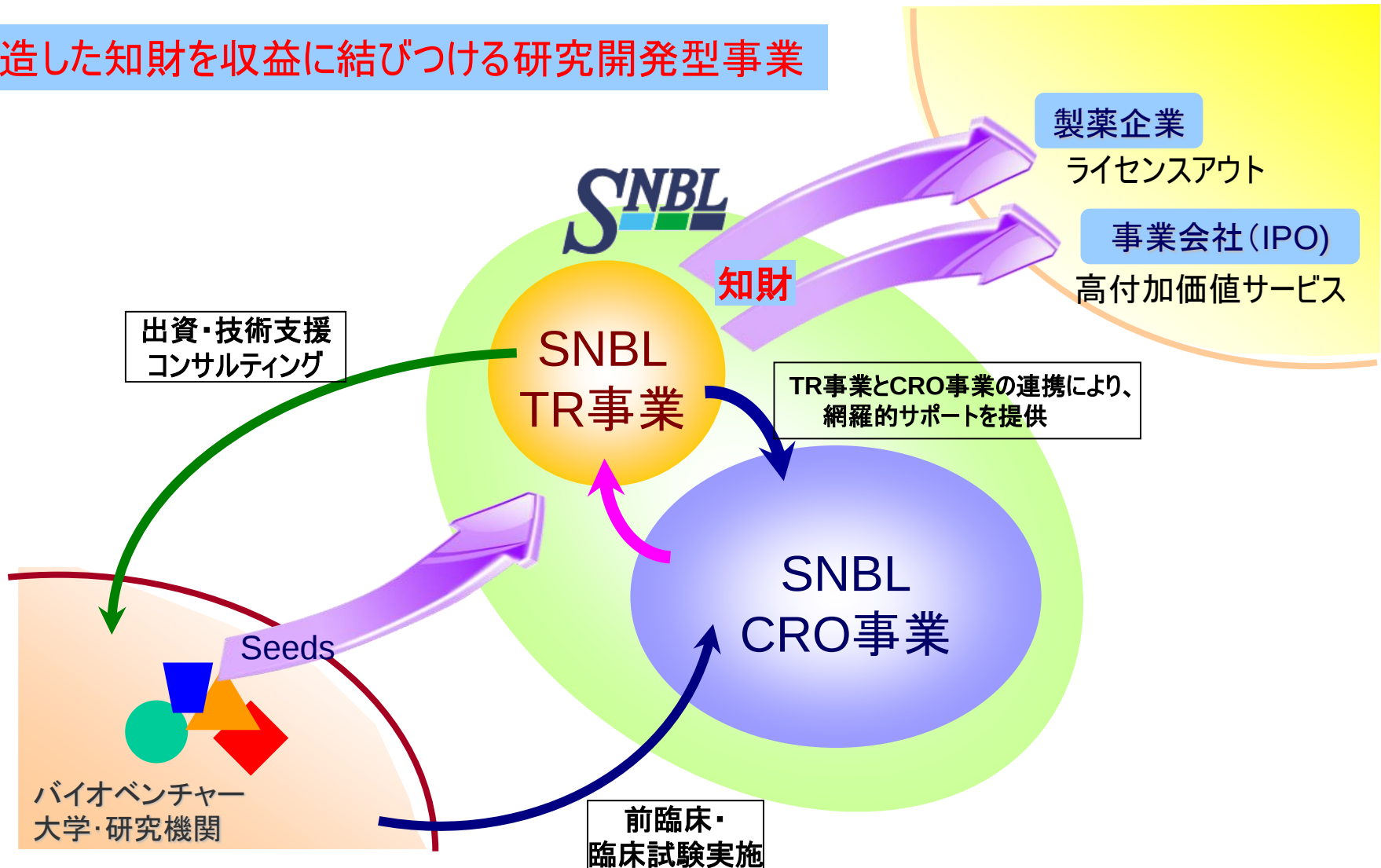
2015年11月 Wave Life Sciences Ltd. NASDAQ上場に次いで
2019年9月 Satsuma Pharmaceuticals, Inc. NASDAQ上場、
経鼻投与基盤技術を応用した事業化を確立。
鼻から脳へ薬物を送達させる技術(Nose to Brain)のプロジェクト継続中。

メディポリス 事業

ホテル運営及び地熱発電は順調に推移。
シラスウナギ人工種苗生産・量産技術研究施設を**沖永良部島**に建設。

トランスレーショナル リサーチ (TR) 事業へのパラダイムシフト

創造した知財を収益に結びつける研究開発型事業



成功事例 1 Wave Life Sciences Ltd.

二人の大学教授と子会社(バイオベンチャー)を設立

Wave Life Sciences Japan

2008年 3月設立
(旧会社名: (株)キラルジェン)

Wave Life Sciences USA

2009年 9月設立
(旧会社名: ONTORII, Inc.)

Wave Life Sciences Ltd.
(Singapore)

2012年7月設立

2012年9月経営統合

2015年11月米国ナスダック市場上場

資金調達(第三者割当増資/IPO)

2014年2月 **5.6百万USドル**
かごしま新産業創生投資事業有限責任組合(KSS)

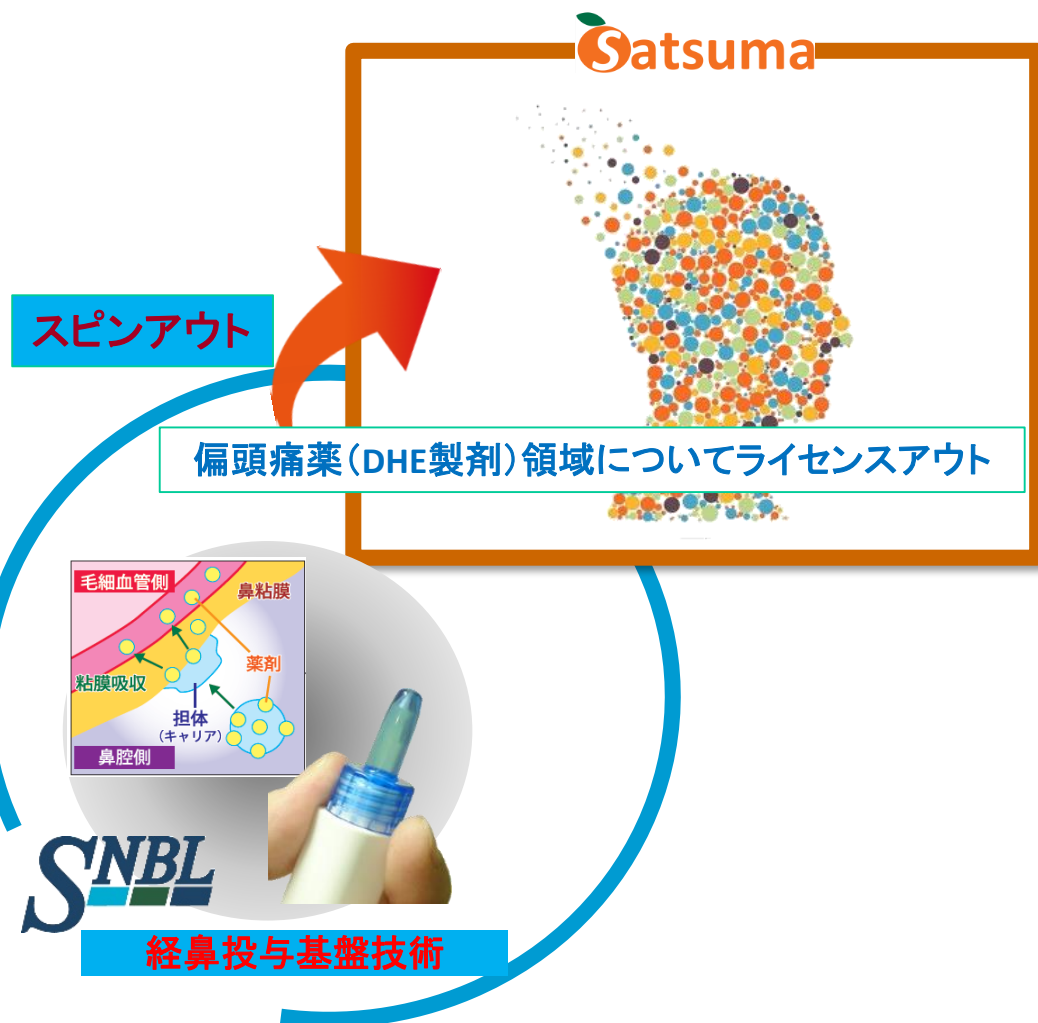
2015年1月 **11.8百万USドル**
かごしま新産業創生投資事業有限責任組合(KSS)
RA Capital Management, LLC

2015年8月 **66.0百万USドル**
かごしま新産業創生投資事業有限責任組合(KSS)
RA Capital Management, LLC
Foresite Capital
Fidelity Management and Research Company
New Leaf Venture Partners
Redmile Group
Jannison Associates
Cormorant Asset Management
Clough Capital Partners L.P.
Leerink Partners LLC
SNBL USA, Ltd.

2015年11月 **111.9百万USドル**
米国ナスダック市場上場(IPO)

成功事例 2 Satsuma Pharmaceuticals, Inc.

2016年6月設立 経鼻偏頭痛薬を開発するバイオベンチャー



資金調達(第三者割当増資/IPO)

2016年12月 **12百万USドル**

RA Capital Management
TPG Biotechnology Partners
Blackwell Partners LLC

2019年4月 **62百万USドル**

Wellington Management Company
RA Capital Management
TPG Biotechnology Partners
Osage University Partners
CAM Capital
SBIインベストメント 他

2019年9月 **90.8百万USドル**
米国ナスダック市場上場(IPO)

■トピックス

(Ⅰ)前臨床事業の市場・トレンド

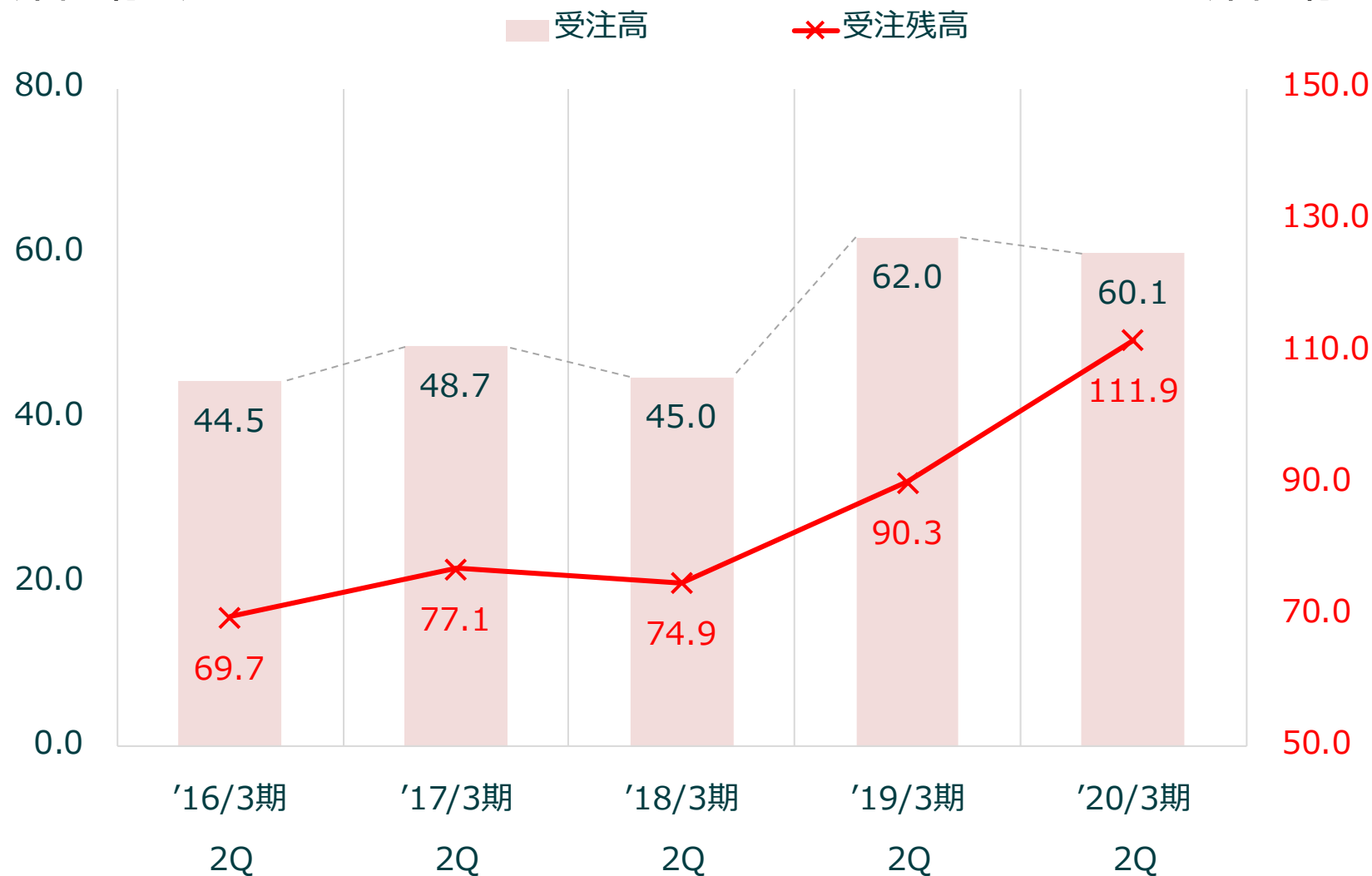
(Ⅱ)Wave社及びSatsuma社の状況

代表取締役副社長 COO 高梨 健

前臨床(CRO)事業 2020年3月期 上半期 受注状況

(単位: 億円)

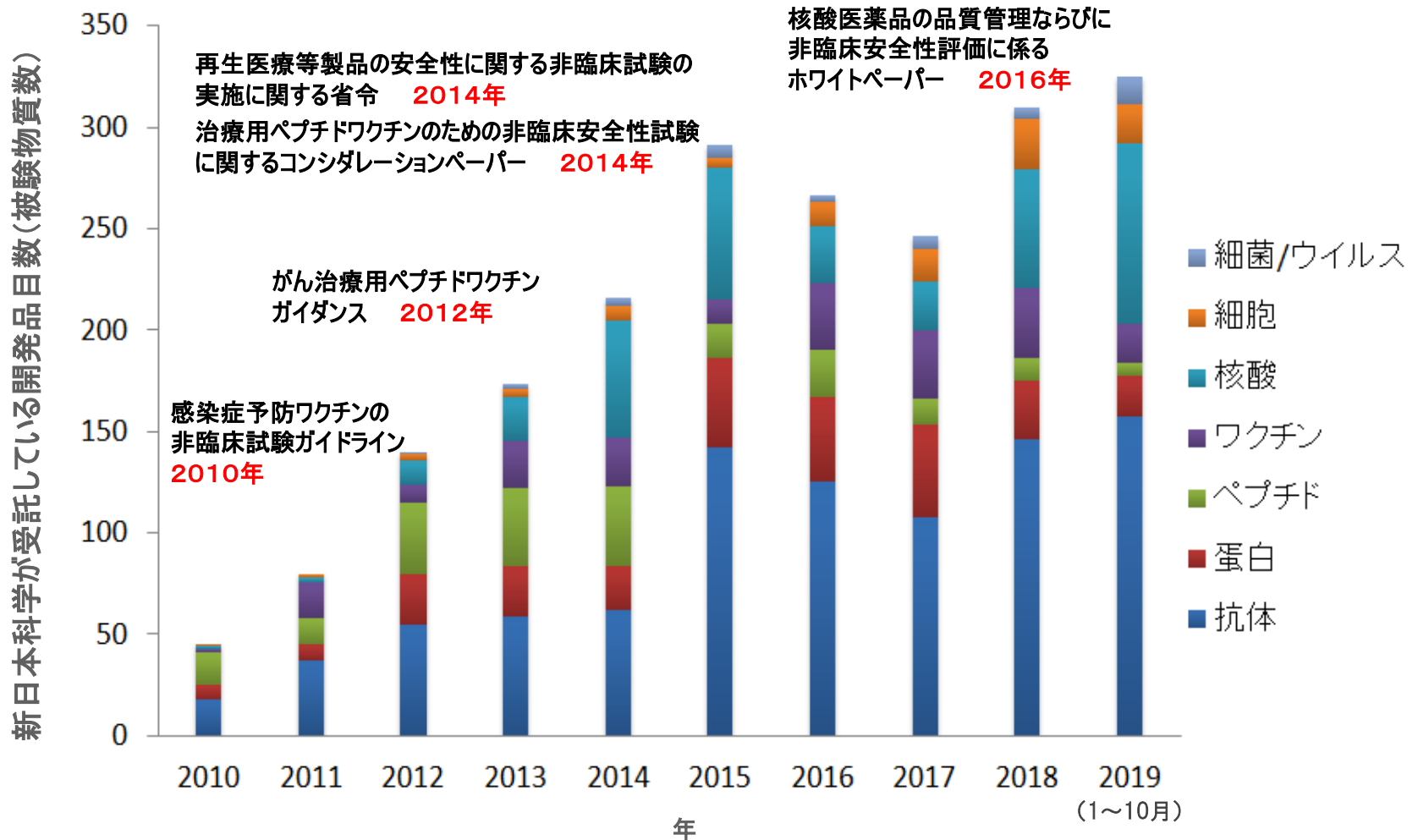
(単位: 億円)



前臨床(CRO)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

- ①核酸が昨年の1.5倍(89品目)に増加
 - ②抗体が昨年より11品目増加(157品目)
- ※2019年は1～10月の実績



神経筋疾患

- ・リード臨床プログラム (DYSTANCE 51)
DMD病 (Exon51/Suvodirsen)
今年7月Ph2/3試験開始
今年Q4にOLE試験の中間薬効データ開示
今年9月にFDAからFast Track指定
FDAから初めてCIDプログラムに選定
2020年2H 迅速承認申請
- ・DMD病 (Exon53/WVE-N531)
2020年2H主要臨床データ開示
- ・DMD病のExon 44, 45, 52, 54, 55を標的とする核酸医薬も開発中

100% グローバルの権利

中枢神経系疾患

- ・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
2019年末までに主要臨床データ開示 (PRECISION-HD2, SNP2)
2020年初に主要臨床データ開示 (PRECISION-HD1, SNP1)
US外の患者に対してOLE試験を開始
さらにSNP3について前臨床段階にあり
- ・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2Hに臨床試験開始

武田薬品と50:50のオプション権

眼科疾患

- ・遺伝性網膜疾患
リードプログラム
アッシャー症候群タイプ2
USH2A exon 13 を標的とする
エキソンスキッピング

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
- ・新世代治療モダリティ
(内在性ADARを活用した
RNA編集)

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	CANDIDATE	CLINICAL	WAVEの商権	パートナー
筋肉	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	ジストロフィン エクソン51	2,000	エクソンスキッピング			OLE and Phase 2/3	100% グローバル	
	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	ジストロフィン エクソン53	1,250	エクソンスキッピング				100% グローバル	
	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	ジストロフィン エクソン44, 45,52,54,55	3,000	エクソンスキッピング				100% グローバル	
	神経筋疾患	Multiple						100% グローバル	
CNS	ハンチントン病	mHTT SNP-1	10,000-35,000	アレル特異的サイレンシング			Phase 1b/2a	50% グローバル	武田薬品
	ハンチントン病	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	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)	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)	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						マイルストーン ロイヤリティ	武田薬品
眼	網膜疾患	USH2A and multiple						100% グローバル	
肝臓	代謝性肝疾患	Multiple		サイレンシング				マイルストーン ロイヤリティ	ファイザー

偏頭痛の急性期治療のための新薬開発会社。

候補化合物 STS101は独自の乾燥粉末技術を用いた薬物とデバイスの組み合わせ製剤。

米国ナスダックへ株式を上場し、約9000万ドルの資金を確保

- ・ 今年9月に1株当たり15ドルで普通株式605万2千株の新規株式公開(IPO)を行い、総額 9,080万ドルを調達。
- ・ STS101の新薬申請(2021年末予定)までの事業継続に十分な資金を確保。

STS101のPhase 3有効性臨床試験“EMERGE™”を開始

- ・ 今年8月に最初の患者に投与を開始。
- ・ 米国の偏頭痛患者約1,140人を対象に、二重盲検プラセボ対照試験を多施設にて実施中。
- ・ 2020年後半に主要臨床データを報告予定。

偏頭痛:

- ・ 4-72時間の間、しばしば激しい頭痛発作を生じ、それとともに神経症状を呈することを特徴とする慢性的で衰弱性の神経疾患。
- ・ 米国では約3900万人、ヨーロッパでは1億人以上の罹患者。
- ・ 18-44歳の大人が最も多く罹患し、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。

既存製品と比べた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。

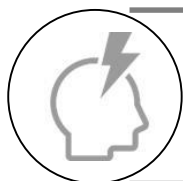
■トピックス

(Ⅲ)TR事業のさらなる展開(プロジェクトの進捗)

常務執行役員 金指 秀一

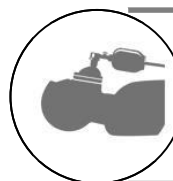
病的状態の改善を促すRescue薬が NDS吸収のポートフォリオを構成しています

候補品目



Pain (migraine)

DHE
Zolmitriptan



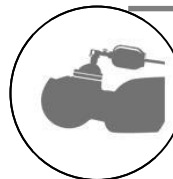
Respiratory Depression (opioid overdose)

Naloxone



Pain (post-operation)

(TBD)



Sedation and Reversal

(TBD)



Anaphylaxis

Epinephrine



Hormone Deficiency

Insulin **Oxytocin** **etc.**



Parkinson's Disease-related Akinesia

(TBD)



Chemotherapy-induced Nausea and Vomiting

Granisetron

NDS薬のポートフォリオには 未充足ニーズ評価／開発戦略策定／オプション技術 が不可欠です

未充足 ニーズ

- ✓ 急速吸収
- ✓ 室温安定性
- ✓ 使用感

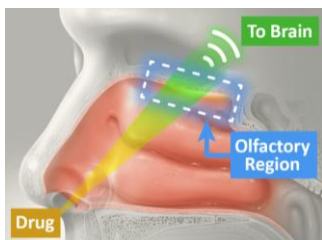
開発戦略

- ✓ 製造ライン
- ✓ 臨床・薬事
- ✓ 市場規模・販売網

SNBL オプション技術

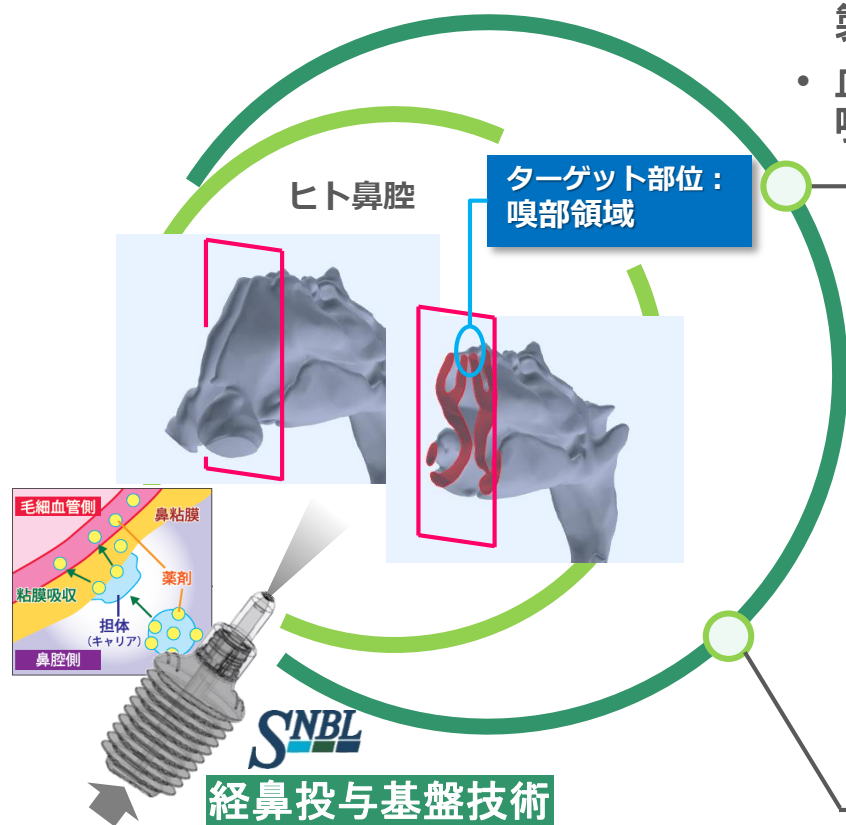
- ✓ 吸収促進
- ✓ 造粒
- ✓ 新デバイス最適化

鼻から脳への薬物送達 —“Nose-to-Brain技術”



- ・ 薬物の脳移行性を高める送達技術の最適化研究が進展中です
- ・ 大手製薬企業との共同研究がステージアップしました

- 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治療薬を、嗅部を介した脳への薬物送達技術で到達可能とする



高度な実験系

