小野薬品工業株式会社

2027 年 3 月期第 2 四半期 決算説明会

2026 年 10 月 29 日

[登壇者]	5 名	
	代表取締役社長 COO	滝野　十一（以下、滝野）
	常務執行役員 財務経理統括部 管掌	伊藤　雅樹（以下、伊藤）
	執行役員 開発本部長	岡本　達也（以下、岡本）
	執行役員 営業本部長	北田　浩一（以下、北田）
	広報部長	井村　竜太（以下、井村）

登壇

井村：本日は、小野薬品の 2027 年 3 月期第 2 四半期決算説明会にご参加いただきまして誠にありがとうございます。はじめに当社の本日の出席者をご紹介させていただきます。

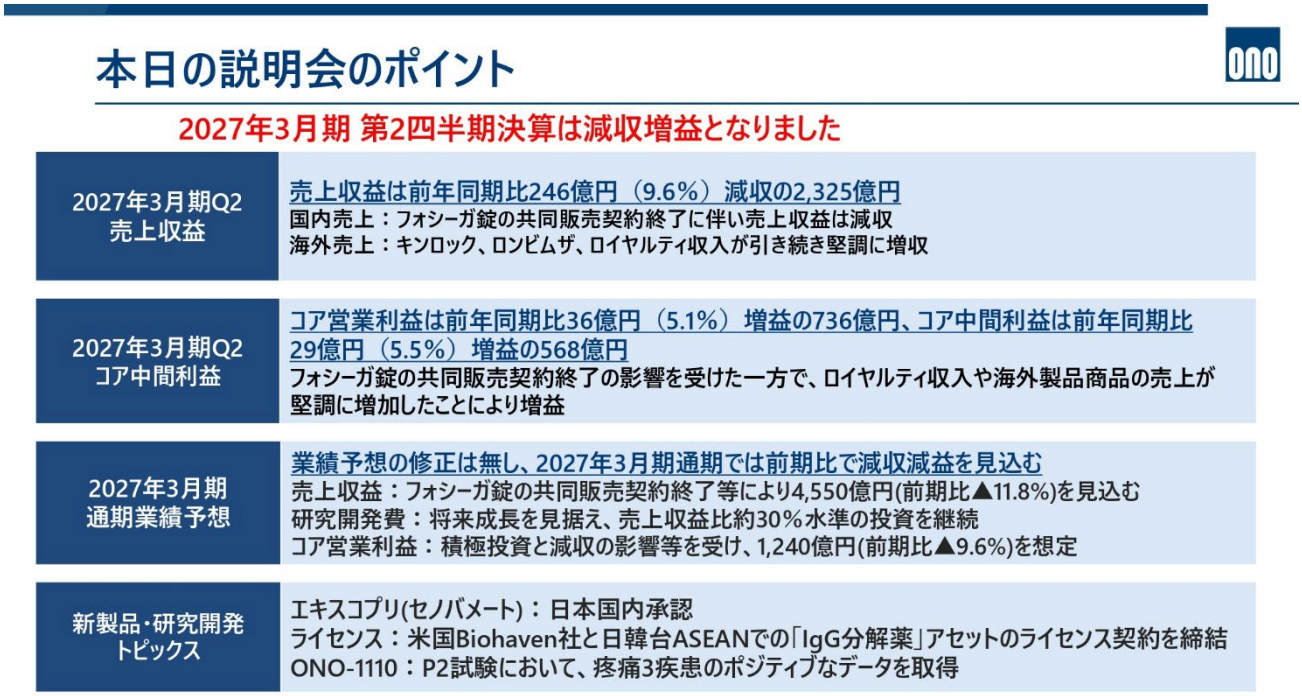
代表取締役社長 COO の滝野、執行役員開発本部長の岡本、常務執行役員財務経理統括部管掌の伊藤、執行役員営業本部長の北田、以上でございます。



最初に社長の滝野より、2027 年 3 月期第 2 四半期の決算の概要を、続きまして開発本部長の岡本より、開発パイプラインの進捗状況につきましてご説明します。

当社からの説明の後、質疑応答のお時間を設けております。なお、資料は、すでに当社のホームページに掲載しておりますので、ご参照ください。

それでは、2027 年 3 月期第 2 四半期の決算概要につきまして、まず滝野よりご説明します。



滝野： それでは早速、2027 年 3 月期第 2 四半期の決算概要です。まず本日の概要のポイントからでございます。この上期は、赤字で示していますように、減収増益の決算となりました。

売上収益は、国内売上がフォシーガの共同販売終了に伴って減収であった一方で、海外売上はキンロック、ロンビムザ、堅調に増加したことに加えて、ロイヤルティ収入が増加したことで、結果、前年同期 9.6%減収の 2,325 億となりました。

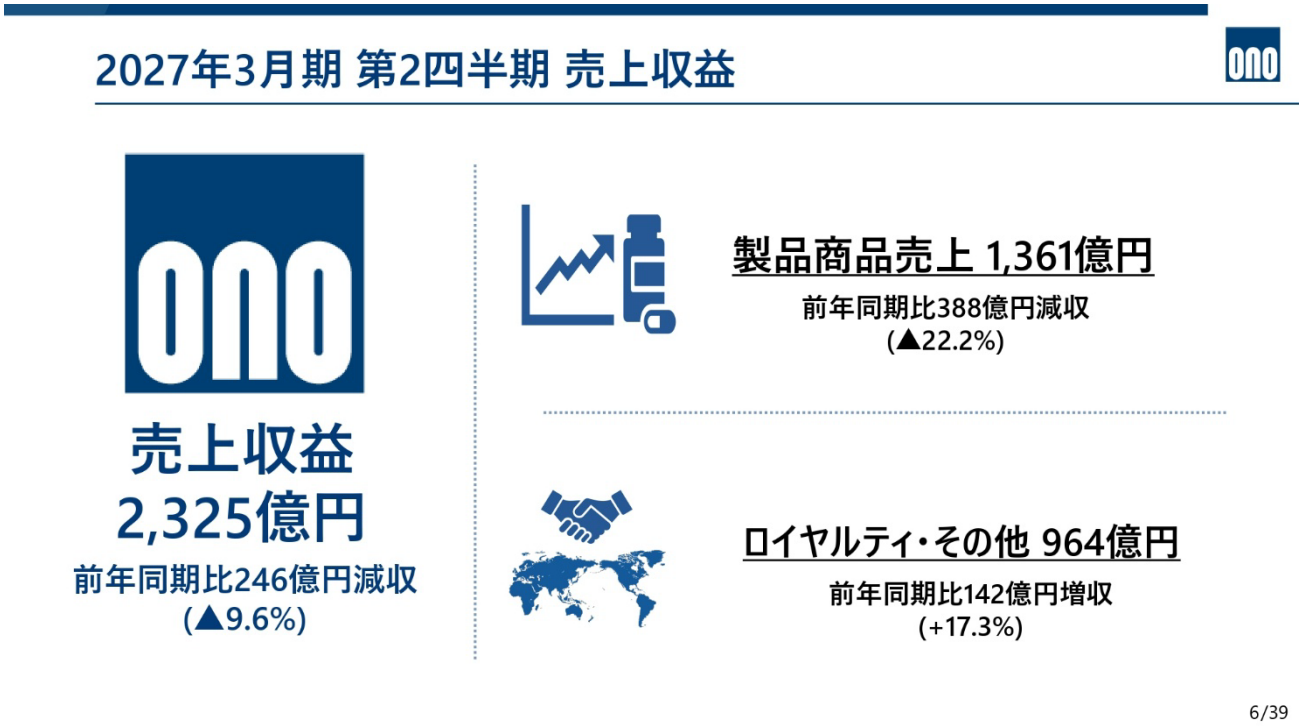
コア営業利益ですが、前年同期比 5.1%増益の 736 億円、コア中間利益に関しては前年同期比 5.5%増益の 568 億円となりました。

通期の業績予想は、本年 5 月に発表した内容から修正はなく、前期比で減収減益を見込んでいます。売上収益は、フォシーガの共同販売終了などで 4,550 億を見込んでおりますが、研究開発費は、将来成長を見据えまして、対売上比で約 30%の水準、この投資を継続します。その結果、積極投資と減収の影響等により、コア営業利益は 1,240 億円を想定しています。

最後、新製品の研究開発トピックスです。まず日本国内でエキスコプリが承認されましたこと、また米国の Biohaven 社から、フェーズ 3 段階にあるバセドウ病の治療薬 BHV-1300 の日韓台 ASEAN での開発販売権を取得しました。後ほど簡単に説明させていただきます。

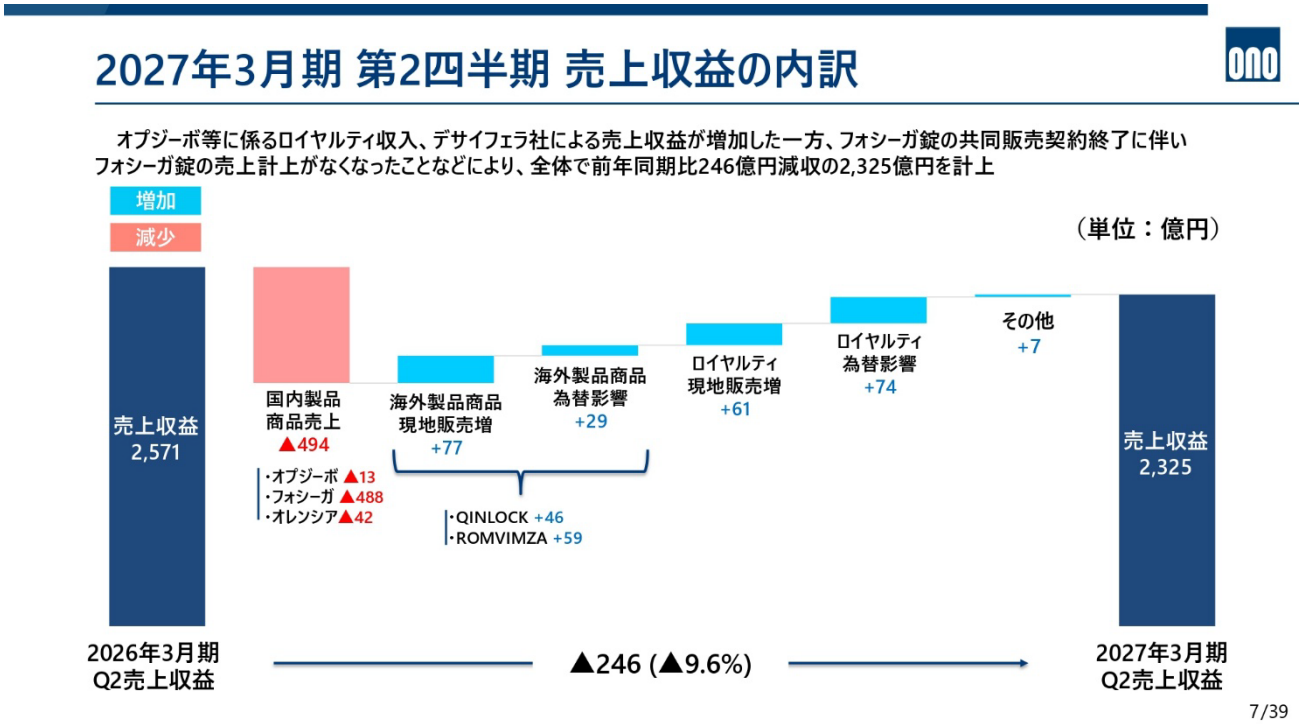
さらに、本日プレスリリースさせていただきました、疼痛と精神疾患関連で五つの PoC 試験を進めていました。内因性カンナビノイド制御剤の ONO-1110 は、疼痛関連の三つの適用についてポジティブなシグナルが得られました。

これは後ほど開発からも説明を改めてさせていただきますが、臨床試験で非常に良好な安全性プロファイルが認められておりますことから、今後大きな成長ドライバーになっていくものと大いに期待しているところです。



第 2 四半期の売上収益です。

右に示します内訳から、製品商品売上は前期比 388 億円、22.2%減収の 1,361 億円、またロイヤルティ・その他が前期比 142 億円、17.3%増収、964 億円となりましたので、合計で前年同期比 246 億円、9.6%減収の 2,325 億円となりました。



その売上収益の増減の内訳です。

こちら、示させていただいておりますが、国内製品商品売上は、フォシーガの 488 億円減少に加えて、オプジーボ、オレンシアなどが減少したことで、494 億円の減少となりました。

一方で、青字で書かれております海外製品売上がキンロック、ロンビムザの売上増加などにより、107 億円増加。またオプジーボにかかるロイヤルティに関しても、現地販売で 61 億円、為替への影響により、74 億円増加して、売上収益は、前期 2,571 億から 246 億円減収の 2,325 億円となりました。

2027年3月期 第2四半期 製品商品売上/国内

（単位：億円）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比		2027年3月期 予想*
			増減額	増減率	
売上収益合計	2,571	2,325	▲246	▲9.6%	4,550
製品商品売上	1,750	1,361	▲388	▲22.2%	2,700
ロイヤルティ・その他	822	964	142	17.3%	1,850

内訳 製品商品売上（国内）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比		2027年3月期 予想*
			増減額	増減率	
オプジーボ点滴静注	585	572	▲13	▲2.3%	1,200
オレンシア皮下注	138	96	▲42	▲30.5%	190
ベレキシブル錠	60	61	1	1.6%	120
パーサビブ静注透析用	45	50	5	11.3%	100
オンジェンティス錠	45	52	8	17.0%	100
グラクティブ錠	69	62	▲7	▲10.1%	95
ビラフトビカプセル	27	40	13	50.1%	85
カイプロリス点滴静注用	40	35	▲5	▲12.3%	70

* 2026年5月8日に公表しました2027年3月期通期の連結業績予想を記載しております。
・国内製品商品は、仕切価格（出荷価格）ベースでの売上収益を開示しております。また、海外製品商品は、正味売上ベースでの売上収益を開示しております。

8/39

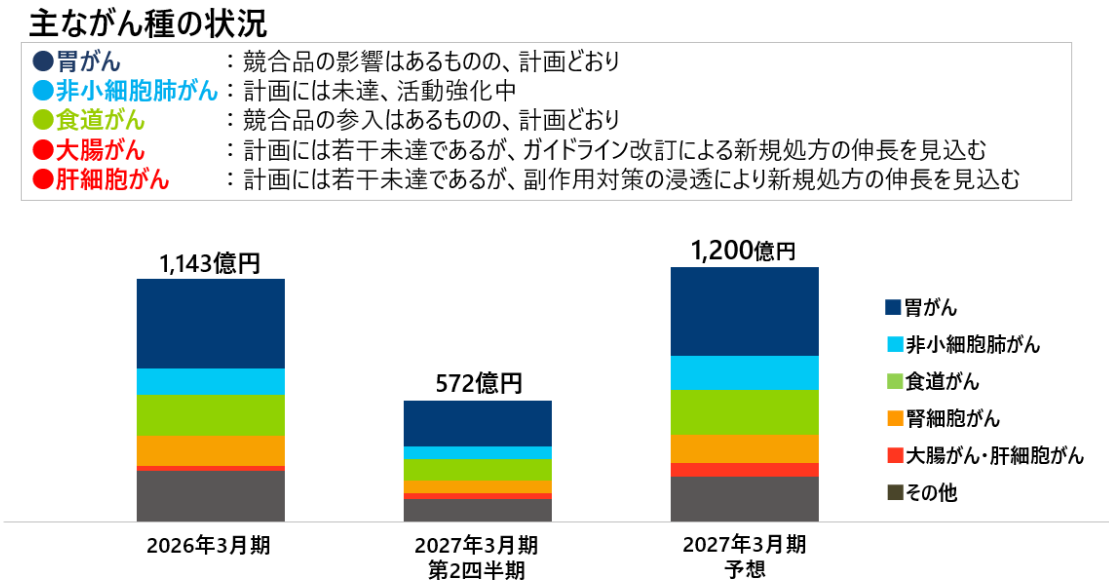
国内の製品別の売上概況です。

オプジーボからですが、競争環境激化によりまして、前期比 2.3%減の 572 億円となりました。関節リウマチ治療薬オレンシアは本年 4 月の薬価改定の影響を受けて、前期比 30.5%減の 96 億円となりました。

糖尿病治療薬グラクティブは 10%減の 62 億円。そして、多発性骨髄腫治療薬のカイプロリスに関しましては、競合品の影響で 12%減の 35 億円となりました。一方でベレキシブルが 1.6%増の 61 億円、パーサビブが 11%増の 50 億円、パーキンソン病治療薬オンジェンティスは 17%増の 52 億円と、引き続き堅調に成長しています。

ビラフトビは昨年度に適用追加しました BRAF 変異の結腸直腸がんの 1 次治療で大きく成長して、前期比 50%増の 40 億円となりました。

オプジーボ がん種別売上



9/39

オプジーボに関して、1 枚だけご説明を追加させていただきます。

今年度上半期を終えた時点では、目標に対して若干ビハインドしている状況です。がん種別では胃がん、あるいは食道がんにおいて、競合品があるものの、ほぼ計画通りに進捗しています。

一方で、肺がんに関しましては、多少伸びが出てきだしているものの、対計画で見ますと目標に届いていない状況でございます。また、昨年適用追加となりました肝細胞がんや大腸がんについても、着実に伸長してきているものの、計画に対しては少し遅れているという状況です。

下期、しっかりと伸長させて 1,200 億円を目指してまいりたいと考えております。

2027年3月期 第2四半期 製品商品売上/海外/ロイヤルティ

（単位：億円）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比 増減額	前年同期比 増減率	2027年3月期 予想*
売上収益合計	2,571	2,325	▲246	▲9.6%	4,550
製品商品売上	1,750	1,361	▲388	▲22.2%	2,700
ロイヤルティ・その他	822	964	142	17.3%	1,850

内訳 製品商品売上（海外）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比 増減額	前年同期比 増減率	2027年3月期 予想*
キンロック	181	228	46	25.6%	430
ロンビムザ	28	87	59	215.8%	190
オプジーボ	72	72	▲0	▲0.3%	130

内訳 ロイヤルティ・その他	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比 増減額	前年同期比 増減率	
オプジーボ	594	691	97	16.3%	
キイトルーダ	138	161	23	16.8%	

* 2026年5月8日に公表しました2027年3月期通期の連結業績予想を記載しております。
・国内製品商品は、仕切価格（出荷価格）ベースでの売上収益を開示しております。また、海外製品商品は、正味売上ベースでの売上収益を開示しております。

10/39

続きまして、海外における製品別売上にまいります。

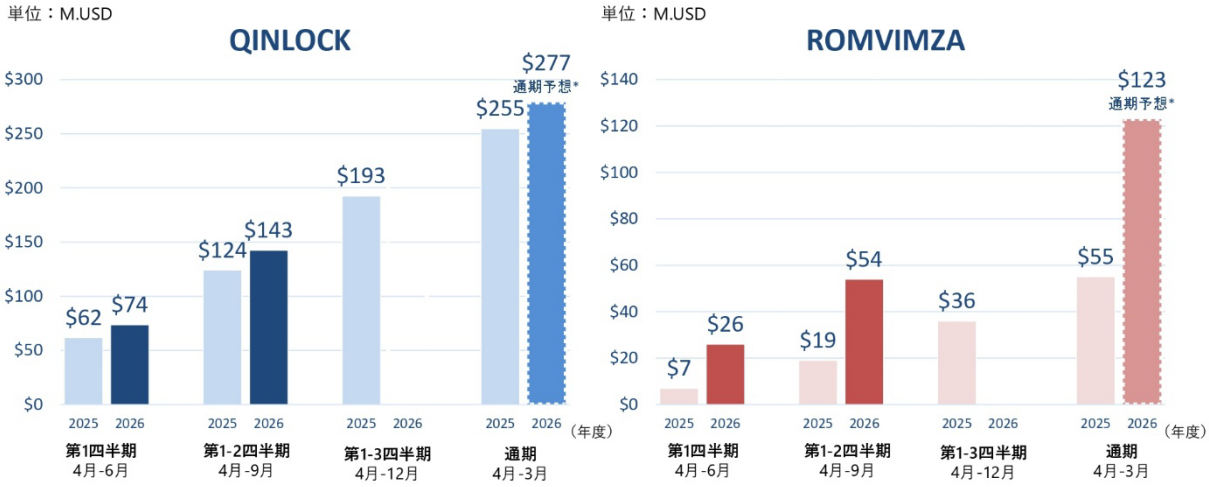
消化管間質腫瘍治療薬キンロックは、米国に加えて欧州その他地域においても使用が拡大して、前期比 25.6%増の 228 億円と堅調に推移しております。

またロンビムザに関しては、腱滑膜巨細胞腫 TGCT 患者さんに対する第 1 選択薬としての評価を着実に獲得してきている結果、前期比で 215.8%増の 87 億円と、こちらも好調に推移してきています。

オプジーボは、こちらは韓国・台湾の合計を示しておりますが、前期比で 0.3%減の 72 億円となりました。一方、オプジーボのロイヤルティにまいりますと、現地でのオプジーボの売上増加および為替の影響によって、前期比 16.3%増の 691 億円、キイトルーダからのロイヤルティは 16.8%増の 161 億円となりました。

キンロック及びロンビムザの販売進捗（米ドルベース）

両製品ともに前年より伸長し、期初公表に対して予定通りに進捗



*27年3月期 通期予想：QINLOCK 430億円、ROMVIMZA 190億円を1ドル＝155円で換算

こちら、ご参考ですけれども、キンロック、ロンビムザの四半期ごとの売上推移を、昨年度と今年度、現地売りがわかるような米ドルベースでの数字を示しております。

為替の影響を除きましても、四半期ごとに順調に伸長していることがおわかりいただけると思います。両製品ともに、右端に示します通期の今年度の目標に向かって順調に推移していっているところです。

2027年3月期 第2四半期 コア営業利益

コア営業利益
736億円
前年同期比36億円増益
(+5.1%)

売上収益 2,325億円
前年同期比246億円減収
(▲9.6%)

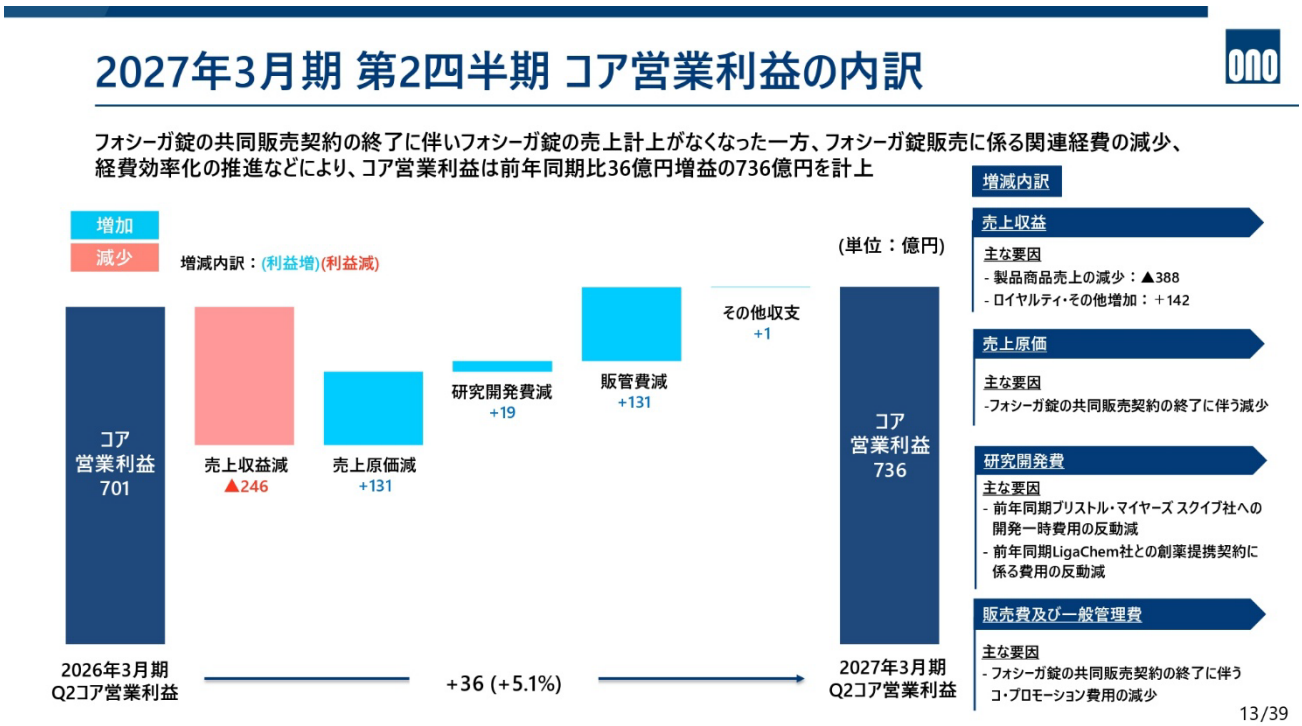
売上原価 417億円
前年同期比131億円減少
(▲23.8%)

研究開発費 691億円
前年同期比19億円減少
(▲2.7%)

販売費及び一般管理費 479億円
前年同期比131億円減少
(▲21.5%)

コア営業利益です。前期比 36 億円、5.1%増益の 736 億円となりました。

その要因ですけれども、売上収益は前期比 246 億円減少の 2,325 億円となったものの、費用面に関しては、フォシーガにかかる原価等で 131 億円の減少、研究開発費は前年同期比 19 億円減少、販管費に関しては前年同期比 131 億円減少したことによります。



増減内訳を図示します。

売上収益が、共同販売終了でフォシーガの売上計上がなくなり、388 億円減少した一方で、ロイヤルティ収入の増加で 246 億円の売上収益の減少となりました。

売上原価は、主にフォシーガ関連の経費の減少などで 131 億円の減少、研究開発費は、前年同期比、ブリストル・マイヤーズへの開発一時費用の反動減や、LigaChem との創薬提携に関わる費用の反動減で、19 億円の減少がありました。

そして販管費に関しましては、フォシーガの共同販売終了によるコ・プロモーション費用の減少などで 131 億円の減少から、コア営業利益としては、前年同期比 36 億円増加の 736 億円と増益になりました。

2027年3月期 第2四半期 連結コア業績

（単位：億円）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比 増減額	前年同期比 増減率	2027年3月期 予想*
売上収益	2,571	2,325	▲246	▲9.6%	4,550
売上原価	548	417	▲131	▲23.8%	840
研究開発費	710	691	▲19	▲2.7%	1,430
販売費及び一般管理費	611	479	▲131	▲21.5%	1,010
コア営業利益	701	736	36	5.1%	1,240
コア税引前中間利益	707	741	34	4.9%	1,240
コア中間利益 (親会社の所有者帰属)	538	568	29	5.5%	930

* 2026年5月8日に公表しました2027年3月期通期の連結業績予想を記載しております。

増減内訳

売上原価 ▲131億円 (▲23.8%)

売上原価率：17.9%
主な要因
-フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴う減少

研究開発費 ▲19億円 (▲2.7%)

研究開発費率：29.7%
主な要因
- 前年同期ブリストル・マイヤーズ スクイブ社への開発一時費用の反動減
- 前年同期LigaChem社との創薬提携契約に係る費用の反動減

販売費及び一般管理費 ▲131億円(▲21.5%)

販売費及び一般管理費率：20.6%
主な要因
- フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴うコ・プロモーション費用の減少

コア営業利益率 31.7%

14/39

コアベースでの全体の損益計算書です。

売上収益は前期比 9.6%減収の 2,325 億円となりましたが、コア営業利益に関しては前期比 5.1%増益の 736 億円、コア中間利益は前期比 5.5%増益の 568 億円となりました。

（参考）2027年3月期 第2四半期（フルベース）

（単位：億円）	2026年3月期 Q2実績	2027年3月期 Q2実績	前年同期比 増減額	前年同期比 増減率	2027年3月期 予想*
売上収益	2,571	2,325	▲246	▲9.6%	4,550
売上原価	720	574	▲145	▲20.2%	1,140
研究開発費	710	691	▲19	▲2.7%	1,430
販売費及び一般管理費	612	479	▲132	▲21.7%	1,010
営業利益	521	579	58	11.2%	940
税引前中間利益	522	584	62	12.0%	940
中間利益 (親会社の所有者帰属)	401	449	48	12.1%	710

* 2026年5月8日に公表しました2027年3月期通期の連結業績予想を記載しております。

増減内訳

売上原価 ▲145億円 (▲20.2%)

売上原価率：24.7%
主な要因
- フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴う減少

研究開発費 ▲19億円 (▲2.7%)

研究開発費率：29.7%
主な要因
- 前年同期ブリストル・マイヤーズ スクイブ社への開発一時費用の反動減
- 前年同期LigaChem社との創薬提携契約に係る費用の反動減

販売費及び一般管理費 ▲132億円(▲21.7%)

販売費及び一般管理費率：20.6%
主な要因
- フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴うコ・プロモーション費用の減少

営業利益率 24.9%

15/39

こちらも参考になります。フルベースでの連結業績です。

売上収益はコアベースの売上収益と同じでございますけれども、営業利益は前期比 11.2%増益の 579 億円、親会社の所有者に帰属する当期中間利益は、前期比 12.1%増益の 449 億円となりました。フルベースにおきましても、減収増益の決算になっています。

（参考）2027年3月期 第2四半期 連結コア調整表

（単位：億円）	IFRS(フル)ベース	コア調整項目				コアベース
		無形資産に係る償却費	減損損失	その他	合計	
売上収益	2,325				–	2,325
売上原価	574	▲120		▲37	▲157	417
売上総利益	1,751	+120	–	+37	+157	1,908
研究開発費	691				–	691
販売費及び一般管理費	479				–	479
その他収支(費用▲)	▲1				–	▲1
営業利益	579	+120	–	+37	+157	736
営業利益率	24.9%				–	31.7%
金融収支(費用▲)	5			▲0	▲0	5
税引前中間利益	584	+120	–	+37	+157	741
法人所得税	134	+30		+9	+39	172
中間利益(親会社の所有者帰属)	449	+91	–	+28	+118	568

増減内訳

売上原価

主な要因
- 買収や導入により獲得した無形資産に係る償却費
- *PPA在庫に係る償却費

研究開発費

主な要因
- なし

販管費・その他収支

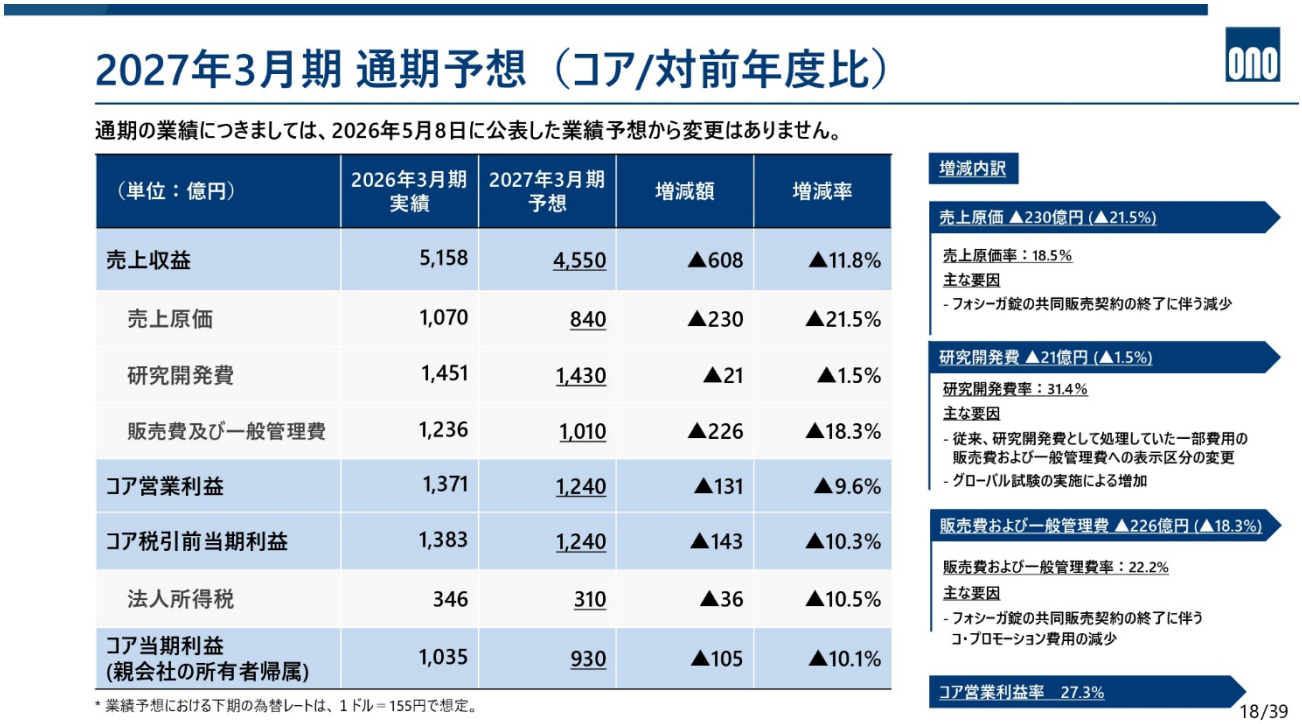
主な要因
-なし

*PPA : Purchase Price Allocation

16/39

こちら、フルベースからコアベースへの調整表です。

調整項目は主に売上原価の項目で、買収や導入に関わる無形資産の償却費 120 億円、そして公正価値評価された棚卸資産の評価分 37 億円を調整しております。



続いて、コアベースの通期予想です。こちらは本年 5 月 8 日に公表しました業績予想から、今回変更はございません。

売上収益は、フォシーガ共同販売終了等によって前期比 11.8%減少の 4,550 億円を見込んでおります。費用面では、将来に向けた成長投資のために、対売上比約 30%の研究開発投資を継続します。

その他の経費については効率化に努めておりますけれども、積極投資と減収の影響によって、コア営業利益は前期比 9.6%減少の 1,240 億円、コア当期利益は 10.1%減少の 930 億円を見込んでいます。

減益予想とはなりますけれども、利益水準はできるだけ維持していきたいと努めています。

（参考） 2027年3月期 通期予想（フル/対前年度比）

通期の業績につきましては、2026年5月8日に公表した業績予想から変更はありません。

（単位：億円）	2026年3月期 実績	2027年3月期 予想	増減額	増減率
売上収益	5,158	4,550	▲608	▲11.8%
売上原価	1,417	1,140	▲277	▲19.6%
研究開発費	1,470	1,430	▲40	▲2.7%
販売費及び一般管理費	1,237	1,010	▲227	▲18.3%
営業利益	922	940	18	1.9%
税引前当期利益	927	940	13	1.5%
法人所得税	227	230	3	1.1%
当期利益 (親会社の所有者帰属)	698	710	12	1.8%

* 業績予想における下期の為替レートは、1ドル＝155円で想定。
下期の為替感応度は1円の円安で売上収益が8億円増加、営業利益が2億円増加を想定しています。

増減内訳

売上原価 ▲277億円 (▲19.6%)
売上原価率：25.1%
主な要因
- フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴う減少

研究開発費 ▲40億円 (▲2.7%)
研究開発費率：31.4%
主な要因
- 従来、研究開発費として処理していた一部費用の販売費および一般管理費への表示区分の変更
- グローバル試験の実施による増加

販売費および一般管理費 ▲227億円(▲18.3%)
販売費および一般管理費率：22.2%
主な要因
- フォシーガ錠の共同販売契約の終了に伴うコ・プロモーション費用の減少

営業利益率 20.7%

19/39

こちら、参考になります。フルベースの通期予想も、本年５月８日に公表した予想から変更はございません。

以上が業績関連の報告です。ここからは、冒頭にも触れましたが、新製品および研究開発関連のトピックスについて説明してまいります。

てんかん診療のアンメットニーズ / エキスコプリ®の作用機序

■ 発作が残存する患者さんには、発作消失を目指せる新たな治療選択肢が望まれる

てんかん診療の現状と治療未充足ニーズ

国内全てんかん患者数　約100万人

発作残存割合　約30%

Chen Z et al. JAMA Neurol. 2018;75(3):279-286より改変

てんかん患者の想いと悩み

良好なQOLには発作消失が不可欠と感じる患者

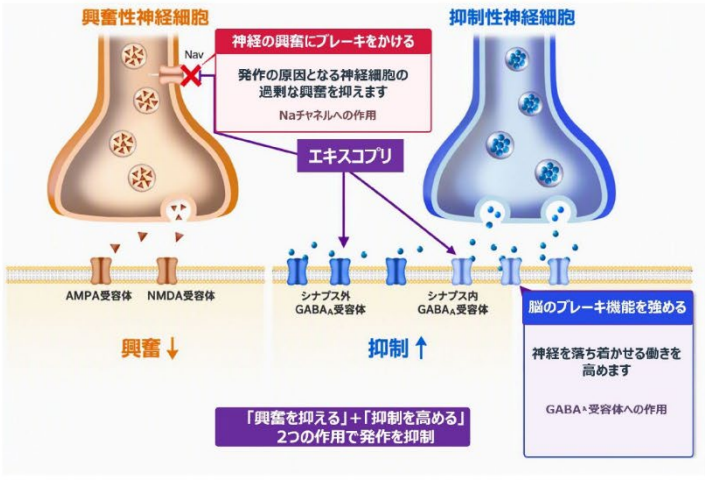
75.7%

発作残存による不安・恐怖と日常生活の制約



Mecarelli O et al. Epilepsy Behav. 2022;137(Pt A):108950より改変
Penovich PE et al. Neurol Clin Pract. 2021;11(5):377-384より改変

◆ 電位依存性Naチャネル阻害作用とGABA$_A$受容体への作用を介して、神経細胞の過剰興奮を抑制



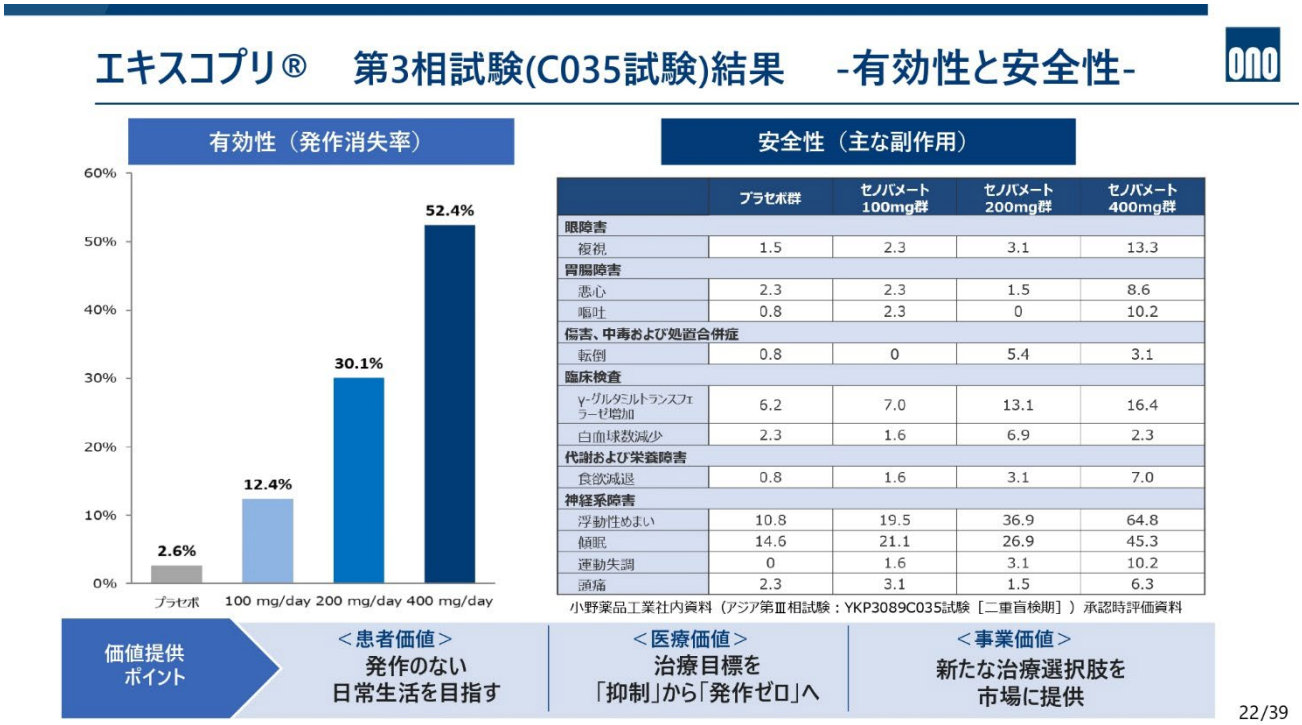
小野薬品工業社内資料（ナトリウムチャネルに対する作用）承認時評価資料改変
小野薬品工業社内資料（GABA受容体に対する作用）承認時評価資料改変
Sharma R et al. Eur J Pharmacol., 2020; 879. 173117改変

21/39

まず、先月の 9 月 16 日、てんかんの新規治療薬エキスコプリが国内で承認されましたので、紹介させていただきます。

てんかん患者さんは、日本国内で約 100 万人、そしてその 3 割の方にまだ発作が残っていると言われております。今回承認されましたエキスコプリは、ナトリウムチャネル、そして GABA 受容体に対する二つの作用で発作を抑制していく薬剤でございまして、すでに米国では 2019 年に承認されて、広く使用されていっているところです。

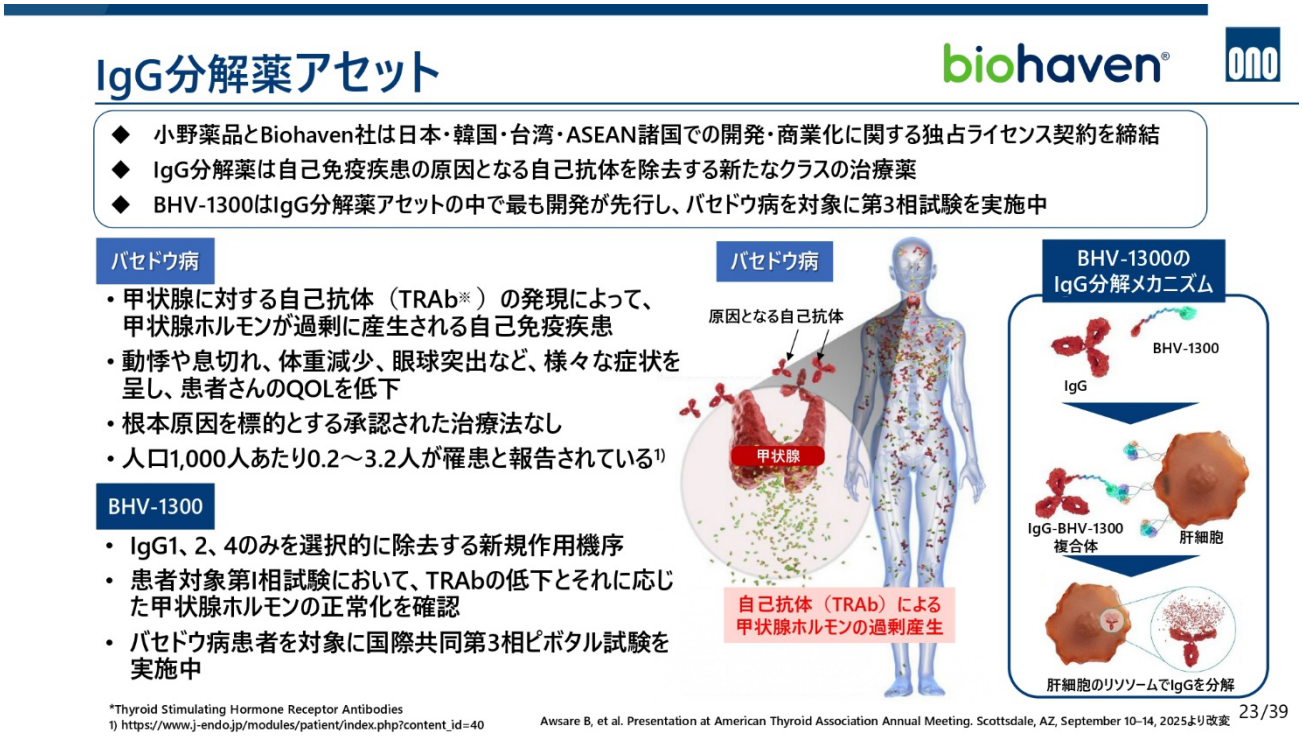
われわれにとりましても、神経領域の薬剤は、日本でお届けできる久しぶりのお薬ということで、非常に楽しみにしています。



特徴を少しだけ触れておきます。

こちらはアジア人の患者さんを対象に実施された国際共同のフェーズ 3 試験の結果ですが、左側のグラフに示します発作の消失率、こちらが 200mg で 30.1%、400mg で 52%強となっておりまして、こういった数字は既存のてんかん治療薬では得られないような発作消失率となっています。

一方、副作用につきましても、用量に応じて頻度が増えてくる傾向がありますので、しっかりと調整していただきながら使用いただくことで、てんかん患者さんの発作コントロール、特に発作ゼロという状態に寄与していけるものと期待しておるところです。

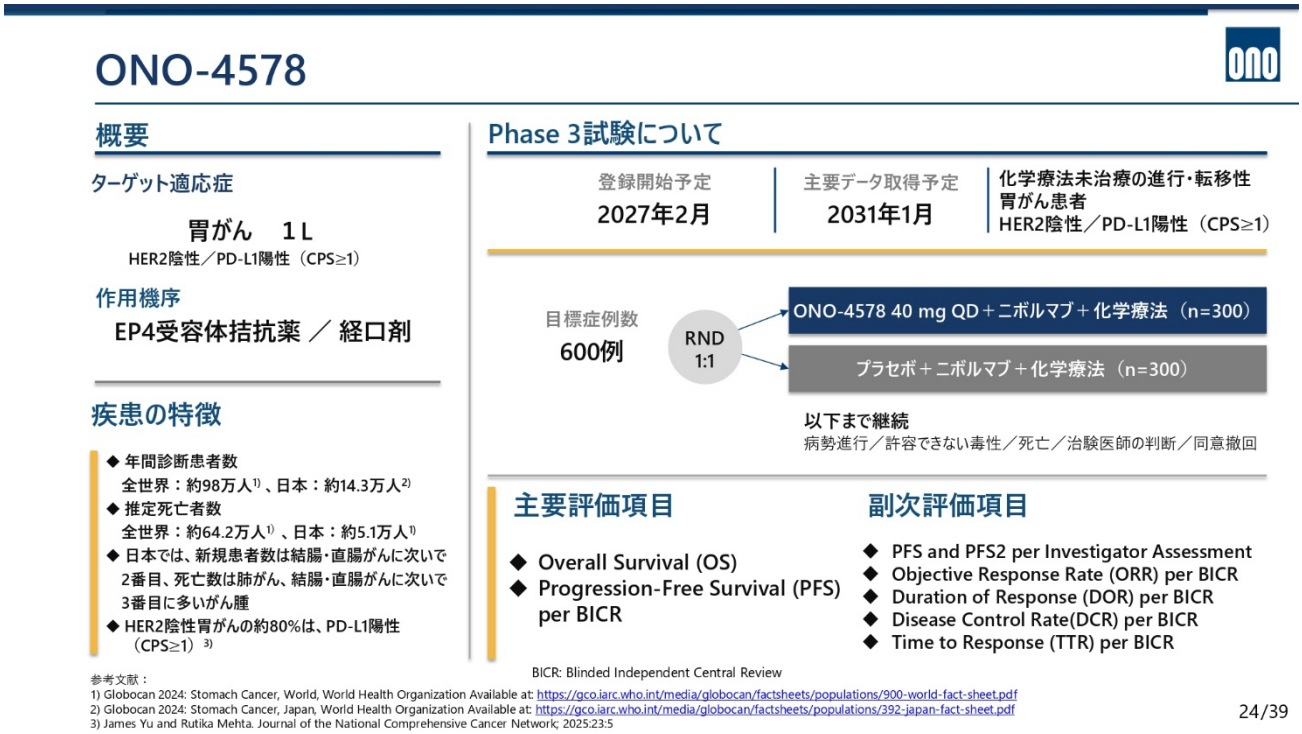


もう一つ、こちらはライセンス提携についても触れさせていただきます。

本年 10 月 8 日にプレスリリースをしました、米国の Biohaven 社の IgG 分解薬 IgG デグレーダーについての独占ライセンス契約ということで、当社は日本・韓国・台湾・ASEAN 諸国での開発・商業化の権利を取得しています。

この IgG の分解薬ですけれども、自己免疫疾患の原因となる自己抗体を除去する新たなクラスの治療薬になるものと期待しております。子細はご覧いただければと思いますけれども、今回権利を得ましたアセットのうちで最も開発が進んでおります BHV-1300 は、フェーズ 1 試験ですでに甲状腺刺激ホルモン TSH 受容体抗体、TRAb と言われていますけれども、この自己抗体を低下させ、それに応じた甲状腺ホルモンの正常化を示しております。

現在、バセドウ病を対象に国際共同フェーズ 3 試験が進行中ですので、2028 年 1 月に結果が得られる予定となっております。アジアを中心とした権利にはなりますけれども、2030 年までの上市に向けたアセットとして、また特に日本においては、弊社のケイパビリティを存分に有効活用できる製品として位置づけて、期待しているところです。



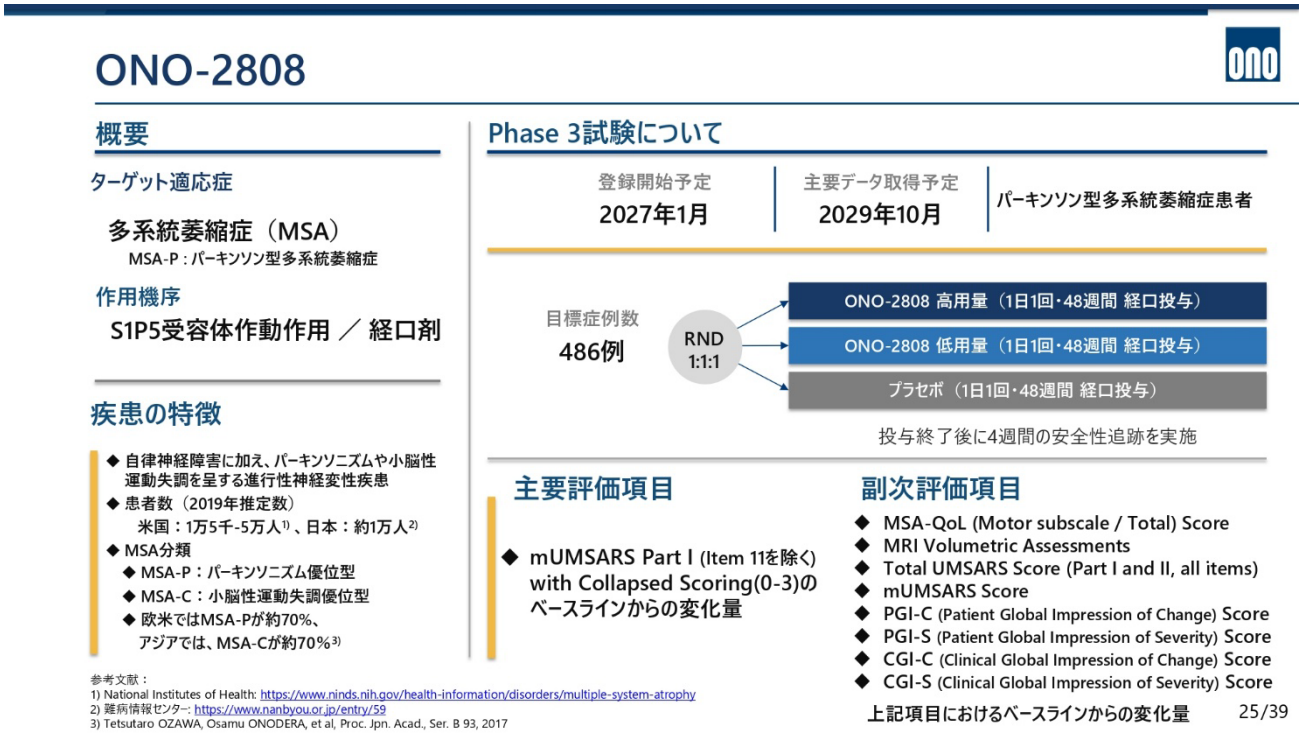
こちらは、現在進行中の当社パイプライン ONO-4578 のアップデート情報です。

すでに臨床試験の情報ウェブサイト ClinicalTrials.gov 上で公開されている内容でございます。フェーズ 3 試験の試験デザインをお示ししておきます。

グローバルで行う二重盲検検証試験となります。対象患者さんは化学療法未治療の進行・転移性の胃がん患者さんで、HER2 陰性、そして PD-L1 陽性、いわゆる CPS1 以上と言われるところの患者さんを対象とした試験になります。

目標症例に関しましては、1 群 300 例、合計 600 例という試験になっていまして、主要評価項目は、書いてございます通り、OS、PFS ということになりまして、副次項目に関しましても記載の通りで割愛させていただきます。

世界では約 100 万人の患者さんが 1 年間に新たに胃がんに診断されておる状況でございまして、日本におきましても年間 14 万人が診断され、死亡数は、がん種別には日本では 3 番目に多いと言われております。そして、今回対象の CPS1 以上の患者さんは、HER2 陰性の胃がん患者さんの 80%を占めることになると言われております。腫瘍のデータの取得に関しましては 2031 年の 1 月を予定しておりますけれども、できるだけ早く終えて市場に届けられるように進めていきたいと思います。

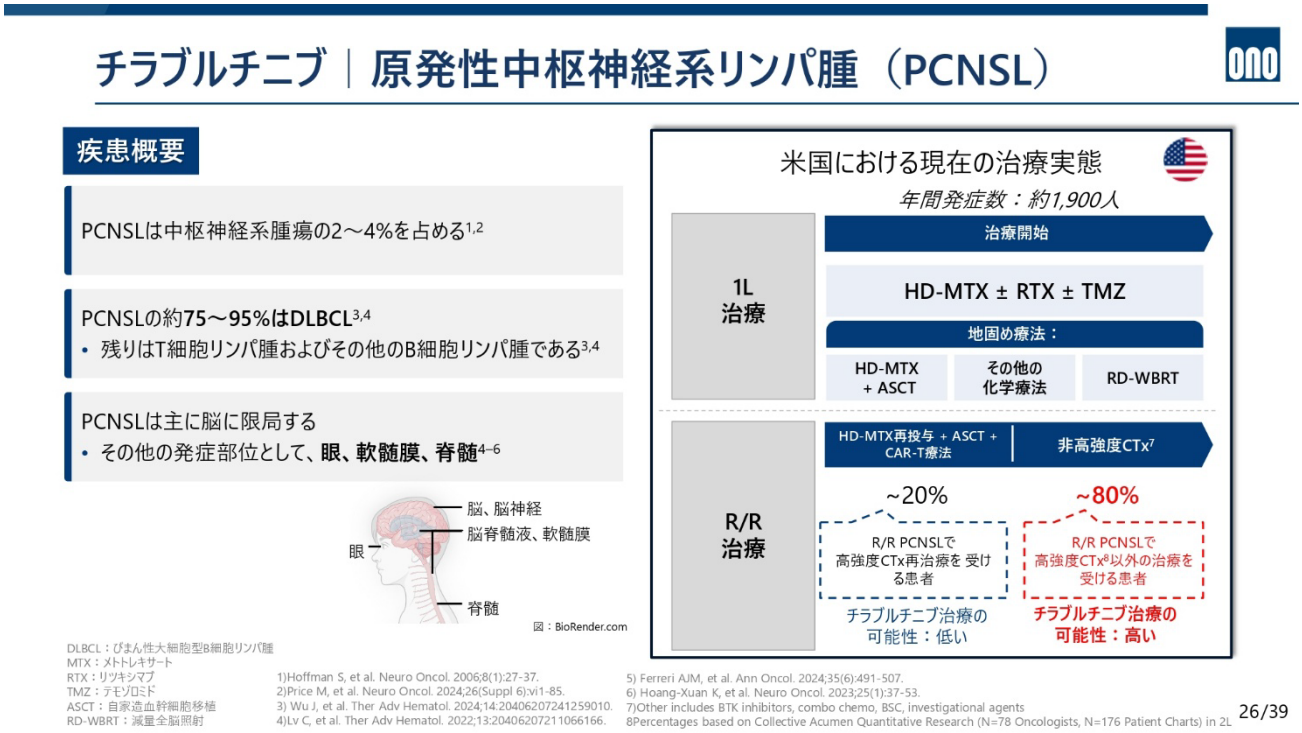


もう一つ、ONO-4578 と同様に、今年度に試験開始を予定しております ONO-2808 のアップデート情報でございます。こちらも ClinicalTrials.gov の公開情報の内容です。

ONO-4578 同様に、フェーズ 3 はグローバルで行う二重盲検検証試験となりまして、対象患者さんは MSA-P、パーキンソニズム優位型の多系統萎縮症の患者さんとなります。高用量、低用量にプラセボを加えた 3 群で、目標症例は 486 例となっています。

主要評価項目は、MSA 患者さんに対するグローバルスタンダードな症状スコア Modified UMSARS（mUMSARS）の Part1 の 12 項目のうちから 11 番目の項目を除いた、11 項目での評価となりまして、副次項目に関しましても、こちらに記載の通りです。

これらの試験につきましては、2029 年に主要データの取得を予定しておりまして、こちらも少しでも早く MSA の疾患で苦しまれている患者さんに早く届けていければと考えています。



こちらが私からの最後のスライドです。

現在、米国で承認審査中のチラブルチニブについてですけれども、審査完了目標となります PDUFA は、本年末 12 月 18 日となっています。

このチラブルチニブのターゲットとする適応症、PCNSL（原発性の中枢神経系リンパ腫）に関しましては主に脳に限局する疾患でございまして、米国では右手にございます高用量のメトトレキサート、リツキシマブ、テモゾロミドの 3 剤で治療が開始されるというところですけれども、その後の再発・難治の PCNSL については、高強度の化学療法以外の治療を受ける患者さんが 8 割程度おられ、ここの治療選択肢の一つとして、チラブルチニブは承認されてくるものと期待しているところです。

現在、米国で再発・難治の PCNSL 治療に対して承認されている薬剤はありませんので、承認されましたら、新たな治療選択肢として PCNSL 患者さんに貢献できると考えています。

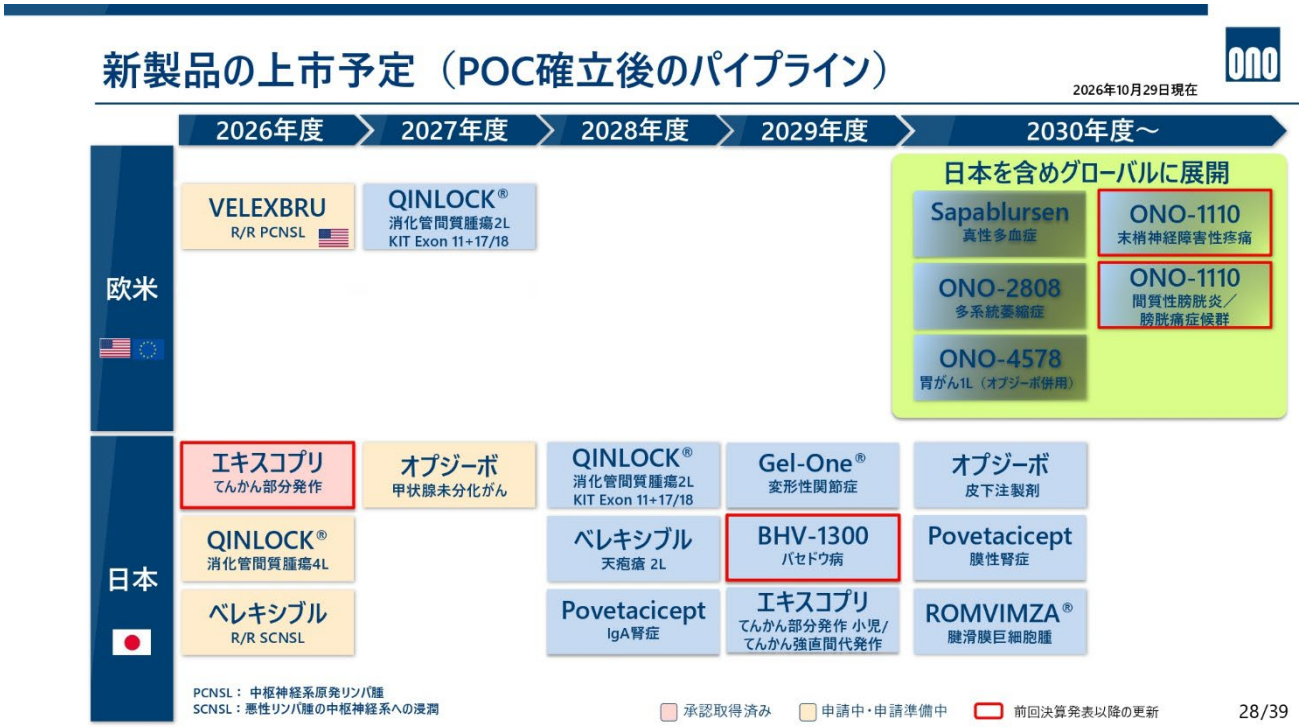
そして、われわれ小野薬品にとりましては、デサイフェラを買収した 2 年前のキンロックの獲得、そして昨年のロンビムザの上市に続きまして、3 年連続の新たなグローバル製品 3 剤目となることを期待しています。

この後、開発から開発の状況を説明しますけれども、開発パイプラインの充実が着実に進展してきているというところを、まずしっかり今日お伝えできればと思いますし、引き続きしっかりと研究

開発投資を進めながら、グローバルの製品売上あるいはプレゼンスを高めていくことに邁進していきたいと考えています。

私からは以上となります。

井村：引き続きまして、開発本部長の岡本より、開発パイプラインの進捗状況につきましてお話させていただきます。



岡本：私からは、ホームページに掲載されております開発パイプラインの進捗状況の資料を用いまして、前回、本年の 7 月 31 日以降の変更点を中心にご説明します。

まず、承認取得の状況および予定です。

まず、2026 年度、本年度の承認取得の状況ですが、先ほど社長の滝野から話がありましたが、エキスコプリ、一般名セノバメートを、無事に本年 9 月に日本で承認を取得しましたので、更新をしております。

続きまして今後の予定になりますが、2027 年度に承認取得を予定しておりましたオプジーボの肝細胞がん術後ですけれども、こちらは残念ながら期待した有効性、結果が得られませんでしたので、削除をしております。

次に、BHV-1300 です。米国の Biohaven 社から導入しました化合物ですけれども、現状、2029 年度に日本国内でのバセドウ病の適応になりますけれども、承認取得を見込んでおりますので、追記をしております。

それから右上ですが、こちらの緑で囲ったところは、欧米プラス、日本を含めたグローバルに展開していくところの化合物群になりますが、本日のプレスリリースでお知らせしておりますけれども、ONO-1110 につきましては、末梢神経障害性疼痛と、それから間質性膀胱炎につきまして、われわれでは PoC が確立できたと判断をしておりまして、新たにこのリストに追記をしました。

なお、ONO-1110 につきましては、私のパートの最後で今後の開発方針の概要も含めてご紹介をさせていただきます。

承認取得に関する実績と予定については、以上となります。



主な開発状況（がん領域）①

2026年10月29日現在

開発コード（一般名）作用機序/モダリティ	適応症等	PI	PI/II	PII	PIII	申請	承認	進捗	実施国	試験番号
ONO-4059（チラブルチニブ塩酸塩） BTK阻害作用	中枢神経系原発リンパ腫 1次及び2次以降							2026年2月米国申請（Part A）	米	NCT04947319
	悪性リンパ腫の中枢神経系への浸潤（既存治療が効果不十分または不適当な場合に限る）							2026年6月日本申請	日	jRCT2031220529
	中枢神経系原発リンパ腫 2次以降（confirmatory試験）							2027年度主要データ取得	米	NCT07104032
QINLOCK DCC-2618（リプレチニブ）KIT阻害作用	消化管間質腫瘍　2次 KIT Exon 11+17/18							2027年度主要データ取得	米、欧、韓、台など	NCT05734105
	消化管間質腫瘍　4次							2027年度主要データ取得	日	NCT07618377
ONO-0530（sapablursen） TMPRSS6遺伝子発現阻害作用（核酸医薬）	真性多血症							2028年度主要データ取得	日、米、欧、韓、台など	NCT07429266
ONO-4578 PG受容体（EP4）拮抗作用	胃がん*							2030年度主要データ取得	日、米、欧、韓、台など	NCT07818070
	結腸・直腸がん*							2027年度主要データ取得	日、米、欧など	NCT06948448
ONO-4482（relatlimab） 抗LAG-3抗体	悪性黒色腫*							2024年度主要データ取得済み	日、米、欧など	NCT01968109
ONO-7427 抗CCR8抗体	固形がん*							2031年度主要データ取得	日、米、欧など★1	NCT04895709
DCC-3116（inlexisertib）　ULK阻害作用	悪性腫瘍（リプレチニブ併用）							2026年度主要データ取得	米、欧	NCT05957367

※＊：オブジーボとの併用　※★1：開発権利国は日本　※進捗はjRCTまたはClinicalTrials.gov上の予定時期等を記載　※赤字は本決算以降の更新　赤字は前回決算発表以降の更新

29/39

続きまして、がん領域の開発パイプラインの進捗状況をお示します。

ONO-4578 の胃がんの第Ⅲ相試験ですけれども、先ほど滝野からお話がありましたので、割愛させていただきます。

一方で ONO-4578 につきましては、非小細胞肺がんの 2 次治療を対象とした開発、探索試験を国内で実施しておりましたが、こちらにつきましては、戦略上の理由により中止することとしましたので、今回から削除をしております。

国内・国外を問わず、全世界的に特定の遺伝子変異がなければ、IO を含むレジメンによる 1 次治療が非小細胞肺がんの治療となっておりますけれども、その治療を受けた後の 2 次治療の患者さんを対象として、オプジーボ、それから標準的な化学療法を併用して ONO-4578 の有効性を見るという試験を探索試験として実施してきました。

根本的なところで、1 次治療の非小細胞肺がんを対象とした開発が非常に激化していることは、皆様方、ご承知のことかと思います。具体的には、二重特異性抗体等を中心に、従来の IO がこのまま標準治療であり続けるというところは少し想定しづらい状況になってきたこともありまして、今回、ポートフォリオマネジメントの一環として、非小細胞肺がんの 2 次治療につきましては、開発を中止することといたしました。

主な開発状況（がん領域）②

2026年10月29日現在

開発コード（一般名）作用機序/モダリティ	適応症等	PI	PI/II	PII	PIII	申請	承認	進捗	実施国	試験番号
DCC-3009　Pan-KIT阻害作用	消化管間質腫瘍							2028年度主要データ取得	米	NCT06630234
ONO-4685（besufetamig） PD-1 x CD3二重特異性抗体	T細胞リンパ腫							2027年度主要データ取得	米	NCT05079282
								2028年度主要データ取得	日	NCT06547528
ONO-8250　iPS細胞由来HER2 CAR-T細胞療法	HER2陽性固形がん							2029年度主要データ取得	米	NCT06241456
ONO-7428　抗ONCOKINE-1抗体	固形がん							2029年度主要データ取得	日	NCT06816108
DCC-2812　GCN2活性化作用	腎細胞がん、尿路上皮がん、 去勢抵抗性前立腺がん							2028年度主要データ取得	米	NCT06966024
ONO-7429　抗L1CAM ADC	固形がん							2028年度主要データ取得	日	NCT07787208

※＊：オプジーボとの併用　※進捗はjRCTまたはClinicalTrials.gov上の予定時期等を記載　※赤字は本決算以降の更新　赤字は前回決算発表以降の更新

30/39

引き続きがん領域ですけれども、こちらは、下の抗 L1CAM ADC であります ONO-7429 の第 1 相試験、こちらはすでに国内で実施しておりましたが、データベースの情報が公開されましたので、更新をしています。

主な開発状況（がん領域以外）①

2026年10月29日現在

開発コード（一般名）作用機序/モダリティ	適応症等	PI	PI/II	PII	PIII	申請	承認	進捗	実施国	試験番号
エキスコプリ錠 ONO-2017（セノバメート）電位依存性ナトリウム電流阻害/GABA$_A$イオンチャネル機能 増強作用	てんかん部分発作							2026年9月日本承認	日、韓など★1	NCT04557085
	てんかん部分発作（小児）							2027年度主要データ取得	日	NCT07594158
	てんかん強直間代発作							2026年度主要データ取得	日	NCT06579573
ONO-4059（チラブルチニブ塩酸塩） BTK阻害作用	天疱瘡							2027年度主要データ取得	日	NCT06696716
ONO-8531（povetacicept） BAFF/APRILデュアル拮抗作用	IgA腎症							2027年度主要データ取得	日、米、欧、韓、台など★2	NCT06564142
	膜性腎症				★3			2028年度主要データ取得	米、欧、韓など★2	NCT07204275
ONO-5532（Gel-One） 架橋ヒアルロン酸	変形性膝関節症							2027年度終了	日	jRCT2031240621
	変形性股関節症							2027年度終了	日	jRCT2061240110
ONO-2808 S1P5受容体作動作用	多系統萎縮症							2029年度主要データ取得	日、米、欧など	NCT07825402
BHV-1300 免疫グロブリンG分解薬	パセドウ病							2027年度主要データ取得	米など★4	NCT07661056
ROMVIMZA DCC-3014（vimseltinib）CSF-1受容体阻害作用	腱滑膜巨細胞腫							2028年度主要データ取得	日	NCT07832747
	慢性移植片対宿主病							2029年度主要データ取得	米	NCT06619561

※★1：開発権利国は日本 ※★2：開発権利国は日本、韓国 ※★3：PIIb/III試験 ※★4：開発権利国は日本、韓国、台湾、ASEAN諸国 ※進捗はjRCTまたはClinicalTrials.gov上の予定時期等を記載 ※赤字は本決算以降の更新 赤字は前回決算発表以降の更新

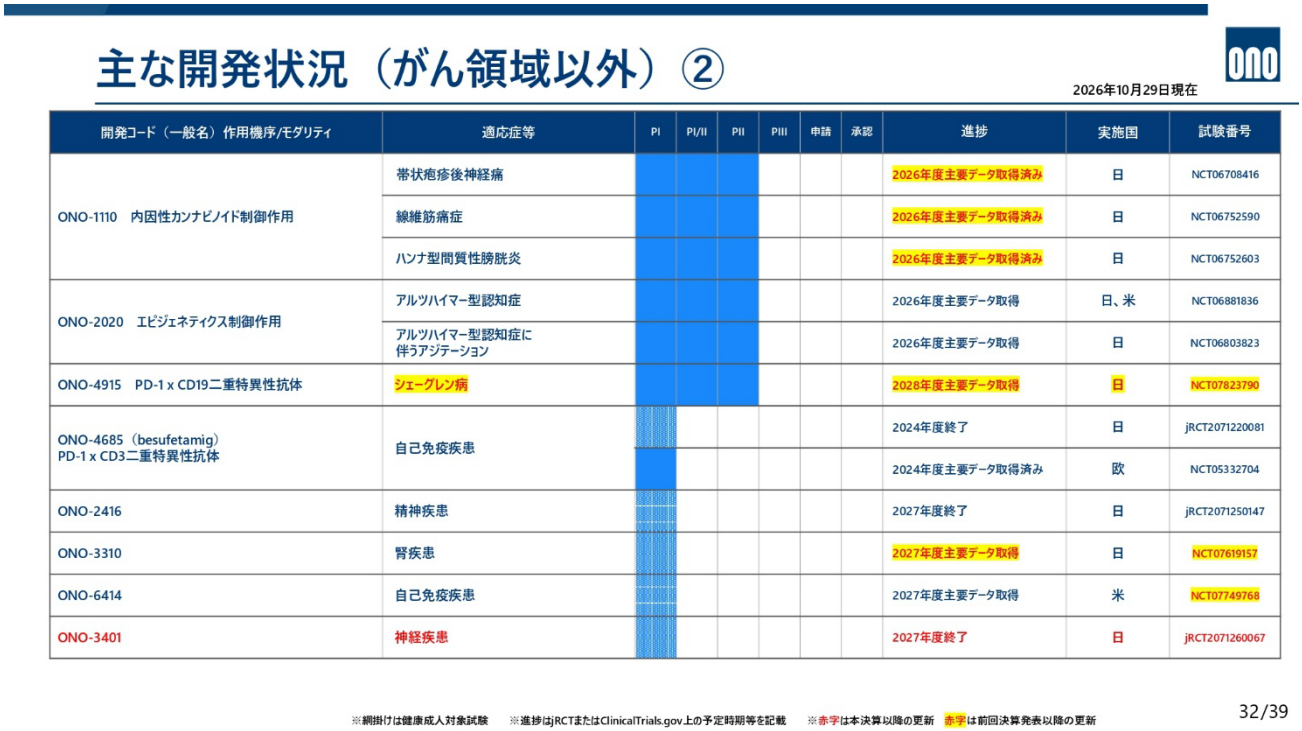
続いて、非がん領域の開発状況です。

セノバメート、エキスコプリ錠ですけど、こちらは先ほどと重複しますので、割愛をいたします。

続いて、中段下の ONO-2808 ですけれども、試験概要については、すでに滝野からご紹介させていただきましたので、割愛をさせていただきます。

さらに、その下の BHV-1300 です。こちらにつきましても冒頭に申し上げた通りで、2027 年度主要データ取得の後、2029 年度中の国内承認取得を予定しているところです。

その下のロンビムザになりますけれども、こちらは国内でも TGCT、アメリカ、ヨーロッパと同様の効能効果を対象として第 2 相試験を実施しておりますけれども、こちらはデータベースの情報公開変更に伴う更新のみです。



主な開発状況（がん領域以外）②

2026年10月29日現在

開発コード（一般名）作用機序/モダリティ	適応症等	PI	PI/II	PII	PIII	申請	承認	進捗	実施国	試験番号
ONO-1110　内因性カンナビノイド制御作用	帯状疱疹後神経痛							2026年度主要データ取得済み	日	NCT06708416
	線維筋痛症							2026年度主要データ取得済み	日	NCT06752590
	ハンナ型間質性膀胱炎							2026年度主要データ取得済み	日	NCT06752603
ONO-2020　エピジェネティクス制御作用	アルツハイマー型認知症							2026年度主要データ取得	日、米	NCT06881836
	アルツハイマー型認知症に伴うアジテーション							2026年度主要データ取得	日	NCT06803823
ONO-4915　PD-1 x CD19二重特異性抗体	シェーグレン病							2028年度主要データ取得	日	NCT07823790
ONO-4685（besufetamig）PD-1 x CD3二重特異性抗体	自己免疫疾患							2024年度終了	日	jRCT2071220081
								2024年度主要データ取得済み	欧	NCT05332704
ONO-2416	精神疾患							2027年度終了	日	jRCT2071250147
ONO-3310	腎疾患							2027年度主要データ取得	日	NCT07619157
ONO-6414	自己免疫疾患							2027年度主要データ取得	米	NCT07749768
ONO-3401	神経疾患							2027年度終了	日	jRCT2071260067

※網掛けは健康成人対象試験　※進捗はjRCTまたはClinicalTrials.gov上の予定時期等を記載　※赤字は本決算以降の更新　赤字は前回決算発表以降の更新

32/39

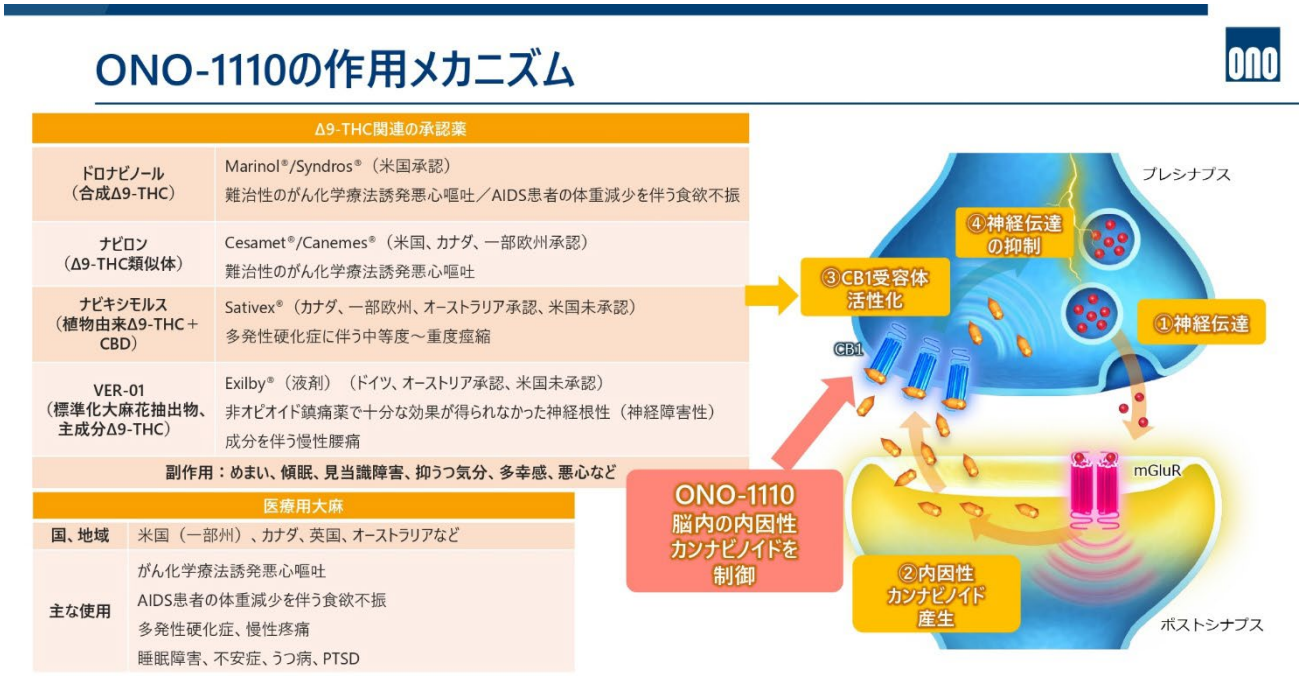
あとは、冒頭で少し触れましたところですが、ONO-1110 です。

試験概要と、それから今後の進め方については最後にお話する旨、申し上げたところですが、このパイプラインリストからは、精神疾患に関する開発の継続、具体的にはうつ病および社交不安症、こちらにつきましては残念ながら有効性を認めることができませんでしたので、削除をしております。

それから ONO-4915 になりますが、こちらは国内でシェーグレン病を対象とした第 2 相試験を開始しましたので、更新をしております。

下の ONO-3310 および ONO-6414 につきましては第 1 相試験を実施中ですけれども、こちらもデータベースの情報公開の更新だけになります。

パイプラインの進捗につきましては、以上となります。



33/39

それでは、改めまして ONO-1110 の PoC 試験の概要等につきまして、少しお時間を頂戴してご紹介をさせていただきます。

まず作用メカニズムですけれども、ONO-1110 は、これまでも、その作用メカニズムを内因性カンナビノイドの制御と申し上げてきましたが、こちらの図でお示ししておりますように、脳内の内因性カンナビノイドを制御する薬剤といえます。

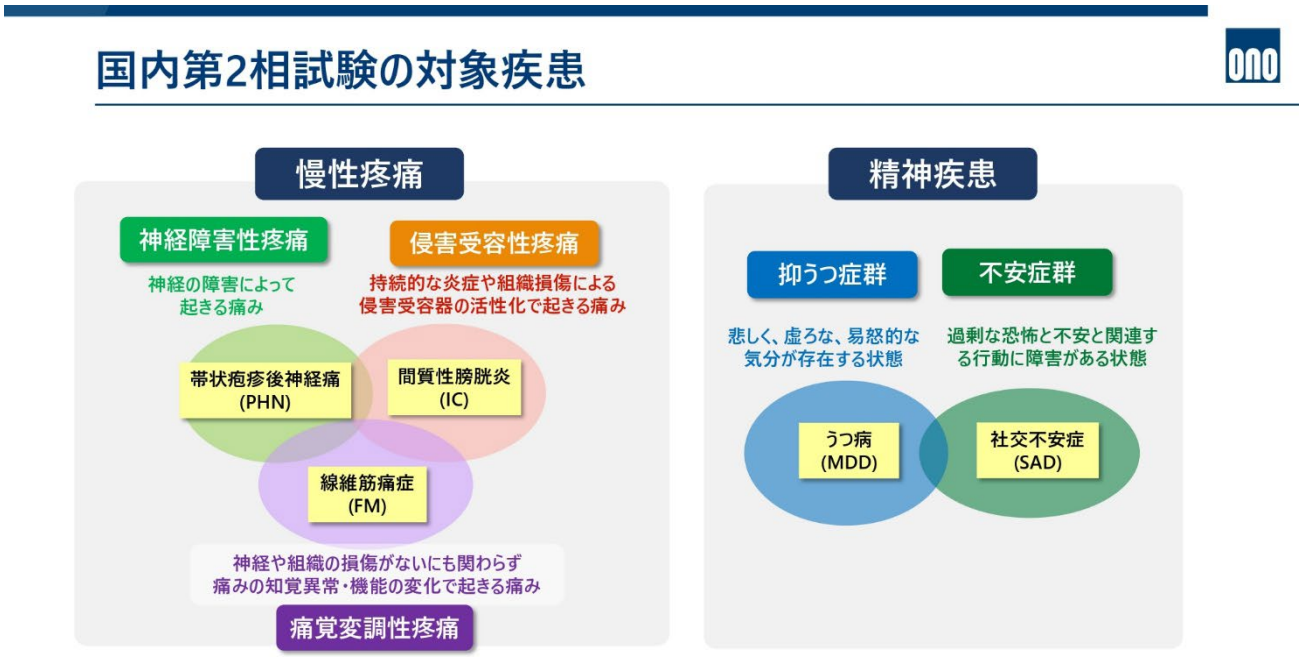
皆様ご承知の通りかと思いますが、カンナビノイドというものは植物の麻、大麻ですね、麻に含まれる炭素数 21 の化合物群の総称とされておりまして、その種類は 104 種類にのぼると言われております。

カンナビノイドには鎮痛作用、それから抗けいれん作用、抗炎症作用などの、ヒトにとって有益な薬理作用を有することが報告されており、実際に左側にお示ししておりますけれども、一部の国では、医療用大麻あるいはカンナビノイドというものの、先ほど 104 種類あるというお話をさせていただきましたが、その誘導体を含めて、こちらに示しておりますようなものが、薬剤が承認をされているところです。

これらの薬剤の鎮痛作用ですとか食欲不振に対する作用等は、右側の CB1 受容体の活性化によって得られるものと考えられておりますけれども、他方で、多幸感など特徴的なものを含めまして、多様な副作用の発現が問題とされております。

一方、生体には、もともと備わっている防御機構として、痛みなどの刺激に応じて産生される内因性のカンナビノイドと言われるものが存在します。内因性カンナビノイドは、CB1 受容体の活性化を介して、痛みなどに対する生体の防御を担っていると考えられています。

ONO-1110 は、この内因性カンナビノイドを制御することによりまして、外部から投与する、こちら、左側でお示しておりますような医療用大麻ですとか、あるいはテトラヒドロカンナビノールに類するようなものとは異なりまして、問題となる副作用を回避しつつ、鎮痛などの有益な作用を得ることを目的として開発を進めている薬剤となります。



こちらは、国内第 2 相試験の対象とした疾患をお示ししております。

まず左側の慢性疼痛ですけれども、慢性疼痛には発症のメカニズムの異なる三つの疼痛があるとされておりまして、神経障害性疼痛、それから侵害受容性疼痛および痛覚変調性疼痛の中から、それぞれ代表的な疾患として、帯状疱疹後神経痛、それから間質性膀胱炎および線維筋痛症を対象疾患として選択しまして、国内で臨床試験を実施しました。また精神疾患からは、うつ病と社交不安症を選択して開発を進めてまいりました。

結果ですけれども、すでにプレスリリースで皆様にお知らせしておりますように、また先ほど私からも申し上げましたが、残念ながら右側の精神疾患に対しては、有効性のシグナルを認めることはできませんでした。

一方でこの疼痛疾患につきましては、PoC が確立できたということをお話しましたけれども、次に進めることを支持する結果を得たと考えております。これ以降、疼痛 3 疾患を対象とした試験概要、結果を得た PoC 試験の概要をご紹介させていただきます。

ONO-1110-04 試験概要

帯状疱疹後神経痛患者を対象としたONO-1110 の前期第2相試験 （ONO-1110-04試験）	
目的	日本人の帯状疱疹後神経痛患者を対象に、ONO-1110の有効性及び安全性を評価する
試験デザイン	多施設共同プラセボ対照無作為化二重盲検並行群間比較
対象患者	中等度以上の帯状疱疹後神経痛患者
主要評価項目	投与開始後8週時点における平均疼痛スコア週平均値（NRS）のベースラインからの変化量
副次評価項目	最悪疼痛スコア週平均値（NRS）、30/50%レスポンダー率、BPI-SF（痛み、機能障害）、SF-MPQ-2（痛みの種類） HADS（不安抑うつ）、PGIC（全般改善度）、血漿中ONO-1110濃度
探索的評価項目	定量的感覚検査、レスキュー薬の使用回数／使用量
安全性評価項目	有害事象/副作用、体重、バイタルサイン、12誘導心電図、臨床検査、C-SSRS（自殺リスク）
用法・用量	XXXXX
投与群・例数	合計140例（ONO-1110群：n=70例、プラセボ群：n=70例）
期間構成	スクリーニング期：7～28日間、ベースライン期：1週間、治療期：8週間、後観察期： 2 週間
試験期間	2024.10～2026.06　エントリー期間：13カ月間



35/39

まず帯状疱疹後神経痛を対象とした試験 ONO-1110-04 試験の概要です。

日本人の患者さん 140 例を対象として、プラセボと、この ONO-1110 投与群を比較したものです。投与期間は 8 週間です。なお、全て共通ですが、用法用量につきましては、現段階では非開示とさせていただいております。主要評価項目は、投与開始後 8 週時点での平均疼痛スコアの週平均値。NRS のベースラインからの変化量でした。

ONO-1110-05 試験概要

線維筋痛症患者を対象としたONO-1110 の前期第2相試験 （ONO-1110-05試験）	
目的	日本人の線維筋痛症患者を対象に、ONO-1110の有効性及び安全性を評価する
試験デザイン	多施設共同プラセボ対照無作為化二重盲検並行群間比較
対象患者	中等度以上の線維筋痛症患者
主要評価項目	投与開始後8週時点における平均疼痛スコア週平均値（NRS）のベースラインからの変化量
副次評価項目	最大疼痛スコア週平均値（NRS）、30/50%レスポンダー率、WPI（広範囲疼痛指数）及びSSS（症候重症度） JFIQR（線維筋痛症質問票）、PGIC（全般改善度）、MOS-Sleep Scale(睡眠評価)、HADS（不安抑うつ）、血漿中ONO-1110濃度
探索的評価項目	定量的感覚検査、圧痛点数、活動量・睡眠・脈拍数など、$CV_{R\text{-}R}$、レスキュー薬の使用回数／使用量
安全性評価項目	有害事象/副作用、体重、バイタルサイン、12誘導心電図、臨床検査、C-SSRS（自殺リスク）
用法・用量	XXXXX
投与群・例数	合計160例（ONO-1110群：n=80例、プラセボ群：n=80例）
期間構成	スクリーニング期：7～28日間、プラセボリードイン期：2週間、治療期：8週間、後観察期： 2 週間
試験期間	2024.11～2026.05　エントリー期間：13カ月間

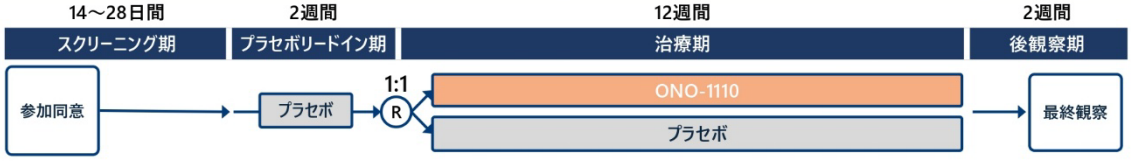


続いて、線維筋痛症対象とした ONO-1110-05 試験の概要です。

こちらは日本人の患者さん 160 例を対象として、プラセボと ONO-1100 を比較したものです。投与期間はこちらも 8 週間となっておりまして、主要評価項目は NRS で 04 試験と同じです。

ONO-1110-06 試験概要

ハンナ型間質性膀胱炎患者を対象としたONO-1110 の前期第2相試験 （ONO-1110-06試験）	
目的	日本人のハンナ型間質性膀胱炎患者を対象に、ONO-1110の有効性及び安全性を評価する
試験デザイン	多施設共同プラセボ対照無作為化二重盲検並行群間比較
対象患者	中等度以上のハンナ型間質性膀胱炎患者
主要評価項目	投与開始後12週時点における平均疼痛スコア週平均値（NRS）のベースラインからの変化量
副次評価項目	最大疼痛スコア週平均値（NRS）、30/50%レスポンダー率、ICSI（間質性膀胱炎症状スコア）及びICPI（間質性膀胱炎問題スコア） 1日の平均／夜間排尿回数、1回平均／最大排尿量、尿意切迫感、SF-12v2（健康関連QOL）、PGIC（全般改善度）、HADS（不安抑うつ）、血漿中ONO-1110濃度
探索的評価項目	レスキュー薬の使用回数／使用量
安全性評価項目	有害事象/副作用、体重、バイタルサイン、12誘導心電図、臨床検査、C-SSRS（自殺リスク）
用法・用量	XXXXX
投与群・例数	合計50例（ONO-1110群：n=25例、プラセボ群：n=25例）
期間構成	スクリーニング期：14～28日間、プラセボリードイン期：2週間、治療期：12週間、後観察期： 2 週間
試験期間	2025.1～2026.06　エントリー期間：15カ月間



こちらはハンナ型間質性膀胱炎を対象とした ONO-1110-06 試験の概要です。

こちらは少し規模が小さくなりまして、日本人の患者さん 50 例を対象として、プラセボと比較をしました。こちらの試験では 12 週間の投与をしております。主要評価項目は 04 試験、05 試験と同様に NRS となります。

本日、参考として受け止めていただければなと思っておりますが、主要評価項目についてご説明します。皆様方、他の試験の比較でも見られたことがあるかと思うのですけれども、経時的なグラフ推移で、実薬群とプラセボ群を群間差で見ているというところが、疼痛 3 疾患共通の主要評価項目に設定しておりました。

本日結果を示せませんが、私どもが今回の試験結果を踏まえて PoC が確立できた、ですとか、あるいは次に進めることを支持する結果が得られたと申し上げている根拠につきまして、少し説明を加えさせていただきます。

今回の PoC 試験では、先ほどご紹介しましたように、いずれの試験においても主要評価項目は NRS のベースラインからの変化量でした。私どもは ONO-1110 群とプラセボ群の群間差につきまして、すでに承認されている薬剤をもとに、理想的な有効性の値、TV（ターゲットバリュー）と、それから許容不可能な有効性の閾値というものをあらかじめ設定しておりました。

例えば有効というレンジ。具体的に言いますと、ターゲットバリューを大幅に上回る良い結果というところ、あるいはターゲットバリューを跨ぐが、少なくとも許容できない、有効性の閾値までは届かないというところを有効。反対にターゲットバリューに届かない場合には無効と判断する、という規定を設けまして、この三つの試験全てが出そろった段階で結果解釈を行っております。

結果のサマリーは、帯状疱疹後神経痛につきましては、主要評価項目全体集団では、ここでいうターゲットバリューを超えるところにいかなかったということでしたが、事前に規定していた層別解析がいくつかあり、層別解析した結果につきましては有効という判断をしております。

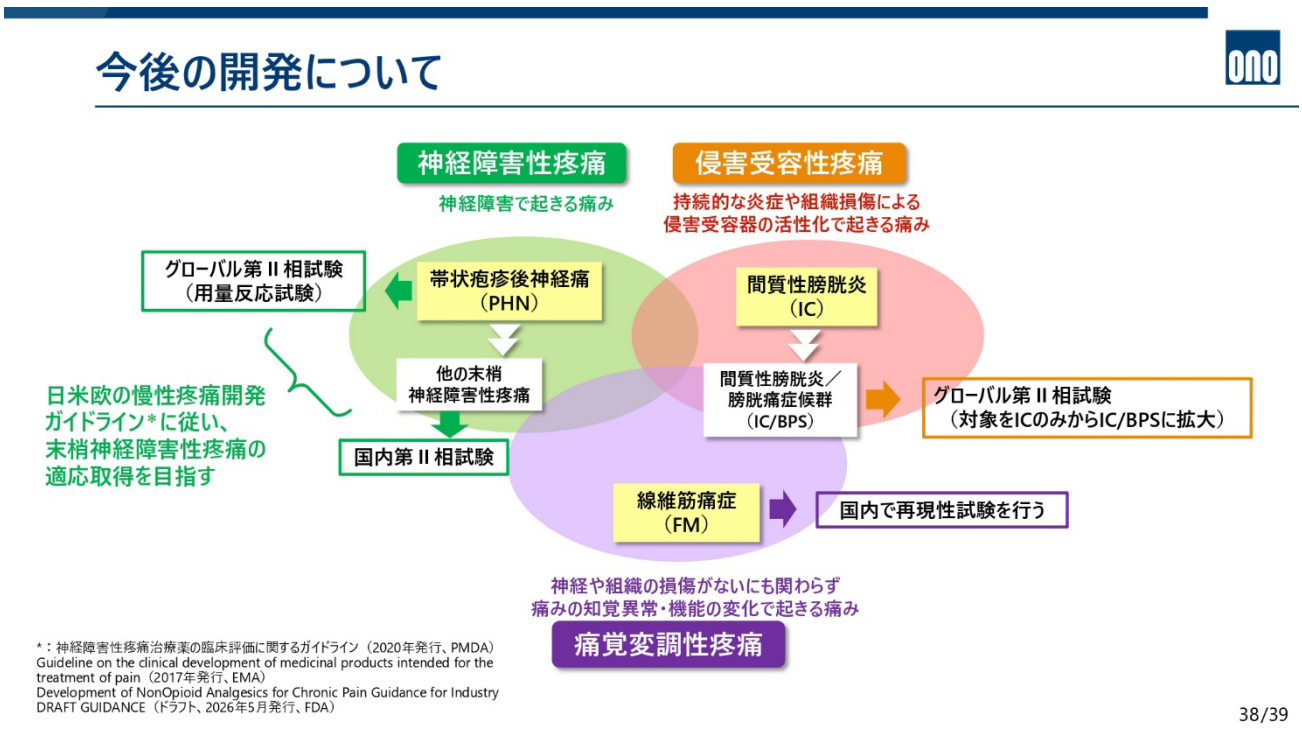
また副次評価項目ですが、これは主要評価項目に依存しない、異なる有効性評価というものも複数行っておりまして、一貫性のある結果、すなわち層別解析の結果に基づくものと同じ方向性を示すような一貫性のある結果が得られておりました。よって、帯状疱疹後神経痛につきましては、本第 2 相試験におきまして PoC が確立できたという判断をしております。

同様に間質性膀胱炎ですが、こちらも帯状疱疹後神経痛と同じような結果解釈になっておりまして、主要評価項目、全体集団は残念ながら無効判断ですけれども、事前規定の層別解析で、この ONO-1110 が間質性膀胱炎に対する薬剤になり得るというところについては、確証を得たと判断しております。

また副次評価項目ですが、間質性膀胱炎に特異的な症状、先ほどの NRS とは別な評価項目になりますが、間質性膀胱炎に特異的な症状においても、一貫性のある結果、具体的には ONO-1110 の有効性を示唆する結果が得られたということが言えます。

一方で線維筋痛症ですが、こちらは疾患としてそもそも有効性評価が難しいということが知られております。こちらにつきましては先ほどの二つとは異なりまして、事前規定していた層別解析の結果でも、有効と判断するところには至っておりませんが、事後的な解析を行い、この集団であれば薬効を十分に確認できるという集団を特定できましたというところが、今回のサマリーでございます。

なお全般を通じて、3 試験、あるいは精神疾患を含めた 5 試験含めて、安全性につきましては良好な安全性プロファイルが示されております。具体的には、ガバペンチノイド等で観察されるような傾眠ですとか、それからふらつきといったような、中枢に作用する薬剤に特異的な懸念される副作用につきましても、良好な安全性プロファイルが示されていたというところでございます。



こちらは、今後の開発の方向性を示しております。

帯状疱疹後神経痛につきましては、先ほど申し上げましたが、PoC を確立できたと判断しまして、次はグローバルで用量反応試験、一般的には後期第 2 相試験ですとか P2b と呼ばれますけれども、この試験を実施する計画としております。

また、帯状疱疹後神経痛以外の末梢神経障害性疼痛、対象疾患をどれにするかというところは、本日は説明を差し控えますが、一般的に言われているものとしては、糖尿病性末梢神経障害ですとか、あるいは神経根症、いわゆる坐骨神経痛のようなものですね。こういったものを対象とした国内第 2 相試験を実施する計画です。

なぜもう一つの疾患をやるのかというところですが、こちらにつきましては、末梢神経障害性疼痛につきましては、二つ以上の異なる疾患を対象に有効性を検証できれば、他の末梢神経障害性疼痛を含む包括的な効能効果として承認取得が可能だというところがあります。

具体的には日本と欧州はそれが可能です。また米国でも、最近発出されているドラフトガイダンスになりますけれども、こちらに基づけば、日欧と同じような方向性で包括的な効能効果の取得が可能と考えておりますので、そちらを目指して後期開発を進めていきたいと考えております。

右側の間質性膀胱炎ですけれども、間質性膀胱炎につきましては、これまでハンナ型と呼ばれるタイプのみを対象として開発してきました。これはハンナ病変というもの、膀胱鏡で膀胱の中を具体的に確認して、ハンナ病変と呼ばれる病変があるものだけを対象に開発をしてきましたけれども、それと同じような症状ですが、ハンナ病変がないためにハンナ型間質性膀胱炎とは呼ばれない患者さんが、ハンナ型間質性膀胱炎と同等程度の数、世界には存在すると言われており、この包括的な疾患概念を対象として、同じくグローバルで第 2 相試験を実施する計画としております。

最後に線維筋痛症ですが、こちらは先ほど申し上げましたように、前二つの疼痛疾患とは異なり、後期第 2 相試験というよりは、われわれが見出した集団というのは、本当に線維筋痛症に ONO-1110 が有効性を示すことができるかという再現性試験が必要と考えておりまして、そちらを国内で実施する予定としております。

開発対象疾患の概要

疾患名	帯状疱疹後神経痛		線維筋痛症		間質性膀胱炎・膀胱痛症候群	
病態	帯状疱疹の皮疹（水疱など）が消失し、帯状疱疹が治癒した後も痛みが続く疾患		身体の広範範囲に原因不明の慢性疼痛を主徴候として多彩な身体、神経・精神症状を伴い、臨床検査で異常を見出せない		膀胱に関連する慢性の骨盤部の疼痛、圧迫感または不快感があり、尿意亢進や頻尿などの下部尿路症状を伴い、混同しうる疾患がない状態。ハンナ病変がある場合は間質性膀胱炎（ハンナ型）、ない場合は膀胱痛症候群と呼ばれる	
患者数	19万人	14万人	473万人	5万人	268万人	12万人

患者数は社内資料に基づく推計

* リリカIF：各疾患を対象とした国内外臨床試験における副作用併合解析

39/39

最後に、先ほど申し上げました対象疾患の概要をお示ししております。

いずれの疾患群も、非常に高いアンメットニーズがあるというところは、皆様、ご承知かもしれません。実際に、疼痛疾患に使われている薬剤がありますけれども、先ほど申し上げた中枢に作用するがゆえの特徴的な副作用ですとか、あるいは導入の段階で用量漸増が必要であるとか、車の運転ができないですとか、いろんな意味でアンメットニーズがまだ多く残されている疾患群であると考えております。

われわれ、この第 2 相試験、5 疾患を対象に同時並行で行いましたので、少なくとも安全性についてはかなり自信を持って、これはいけると考えております。また有効性につきましても、残念ながら精神疾患二つは駄目だったんですけれども、疼痛疾患つきましては、全てが同じ方向性を向く結果でした。事前規定の層別解析も 3 試験共通、同じような層別因子を組んでおりますが、それぞれで切ったときに、ある試験ではこちらを向く、ある試験は反対を向くという方向性ではなくて、全て同じ方向性を向いているというところからも、試験の規模は大きくはなかったですけれども、ONO-1110 の薬効というものは十分に確認できたのかなと考えておりまして、次は第 3 相試験ではございませんが、自信をもって後期第 2 相試験に進められると考えております。

この第 3 相試験でないというところですけれど、もう一つだけ補足させていただきますと、この ONO-1110 は、われわれとしては、メカニズムから考えて非常に大型化が期待できると考えておりましたが、一方で、いろんなところでも言われているように、やはり疼痛疾患で新規メカニズムの薬剤で有効性を見出すというのは非常に困難であることが知られております。

その中にあって、まずはこの ONO-1110 がわれわれの仮説通りに働くということ、ヒトにおいて有効性を示すということを確認しにいくことを最優先とした開発計画を組みましたので、有効性が期待できると考えられる 1 用量だけをもって、用量決め打ちで 5 疾患に対して五つの試験を実施したというところがあります。

一方で、承認申請に際しては、用量反応性の説明を求められるところがあります、現時点で用量反応について確認していないことがありますので、次にフェーズ 3 という展開に持っていけないというところがございます。

以上、私からはパイプラインの進捗状況と、それから ONO-1110 の概要につきましてご紹介をさせていただきました。ありがとうございました。

質疑応答

井村 ：ここからは皆様からのご質問をお受けいたします。

シティグループ証券の山口様、よろしくお願いいたします。

山口 ：今ご説明いただいた ONO-1110 について、少々お伺いしたいと思います。

一つ目はメカニズムですけれど、制御とおっしゃられておりますけれど、これは外因性カンナビノイドと同じところを刺激するということでしょうか。制御というのが、ちょっと今ひとつ理解が進まないんですが、そこをまず教えていただきたいというのが一つ。

もう一つ、主要評価項目は未達だったけれど、層別解析、ということはございました。これは具体的に層別解析ってどういうことを示唆されておられるのかということと、結局、最終的には層別解析の結果、対象患者数が減ることになるのか、いや、そうでもないのか。この 2 点について教えていただけますでしょうか。

岡本 ：恐縮ですが、メカニズムにつきましては、ちょっとこれ以上の詳細は従来通り非開示とさせていただいているところでございまして、作用点をちょっと細かく詳細に申し上げることについては、本日は差し控えさせていただきたいと思います。

それから層別解析ですけれども、層別解析、例えば、先ほどご質問いただいたところで一般化してイメージをお話させていただくと、PD-L1 抗体の試験、われわれもたくさん実施してきましたが、PD-L1 陽性とオールカマーみたいな感じで、PD-L1 を層別因子にしておいて、PD-L1 の集団でメットしたら、次に階層でオールカマーに持っていく、みたいなのもあるので、その場合ですと集団としては減るかなと思います。

今回、この層別解析の細かい中身はご容赦いただきたいんですが、私ども、今回の層別解析の結果をもって、対象集団が絞られるとは考えておりません。層別解析は、これも一般論ですが、要するに薬効に影響を及ぼすであろう因子ですね。例えば予後因子のケースもあれば、疼痛疾患ですと、いわゆるプラセボの影響が出やすいところとかあるかなと思いますけれども、いずれにしましても、事前に規定した層別解析で結果良かったんですが、それをもって、ある特定の集団だけに絞られるとは考えておりません。

山口 ：わかりました。あと、ONO-2020 はまだ非開示だと思うんですけれど、ClinicalTrials.gov では終わっている、みたいな記述があるようですけれど、これについていつ頃発表になりそうですか。

岡本 ：ONO-2020 につきましては、年内、2026 年の 12 月末までには皆様方にお知らせができると考えております。

井村 ：引き続きまして UBS 証券の関様、よろしくお願いいたします。

関 ：ONO-1110 のところでお伺いしたいです。まず層別解析したときに、点推定は、マイナス 1.0 のターゲットバリューを超えていたんですか、ということですね。層別解析すると患者さんの数は少なくなるので、そうすると信頼区間が広がって、このマイナス 1.0 のところをまたぎやすくなる気がするんですけど、ちょっとその可能性を排除するために、点推定がマイナス 1.0 を超えていたのかというのが一つ。

もう一つが、今回おっしゃっている層別解析は、一つですか。それとも複数ですか。事前に規定していた層別解析が全て有効だったんだったら、それって選択バイアスがかかっていないので、すごくポジティブだなと思うんですけれども、複数あったうちのいくつかが、任意にピックされた層別解析が有効だったとおっしゃっていらっしゃるのか、どちらでしょうか。これが 2 点目です。

岡本 ：まず、点推定値というご質問だったんですが、いわゆるターゲットバリューを LS mean（最小二乗平均）が超えたか超えなかったかというところは、今後学会での公表等もありますので、回答を差し控えさせていただきたいと思います。

信頼区間の話もしていただきましたので、当然、N の数が少なくなると信頼区間が広くなりますが、逆を言うと、信頼区間が広がった結果、この有効というレンジに入ることは確率としてすごく少なくなってくる。

具体的に言うと、むしろ無効の方に行くですとか、判断保留というところにイメージとしては行くかなと思うんですけれども。少なくとも帯状疱疹後神経痛と間質性膀胱炎については、判断保留ではなくて、有効というレンジに収まったということは申し上げます。

それから、学会、来年の春ごろでのデータ開示を予定しております。そのときまでなかなか踏み込んでお話できないんですけれども、層別解析においては明確に、しかもそれが非常に少数例だったということではない、とはちょっとお答えをしておきたいと思います。

それからもう一つ、層別解析の件ですね。層別解析を繰り返して、たくさん切り刻んだ結果、ということはないです。ないですというのは、ここにまさにお示ししておりますが、われわれ、やはり

臨床試験を実施して結果解釈を行う者として、いろんな方向から切ってこうだった、という解釈を導くということはしておりません。その場合は若干そこに行ってしまうのは、線維筋痛症が事後的な解析で、というところは申し上げておりますが、層別解析については、ある共通する層別因子におきまして、そこで切ったときには同じ方向に動いたとご理解いただければと思います。

関 ：2 点目が、12 月 18 日、PDUFA のチラブルチニブの審査は順調でいらっしゃるかということと、あと IgA 腎症の povetacicept ですね。これ、日本で例えば UPCR のデータを用いて早く申請するとか、そういったことって可能だったりされるんでしょうか。

岡本 ：先に povetacicept からご回答申し上げますが、ちょっと従来から申請の直接的な申請戦略に関わるところについては回答を差し控えさせていただいており、ご容赦ください。

チラブルチニブの審査につきましては、はい、審査終盤になっておりまして、一般的に FDA となされるやり取りといいますか、申請者と FDA との間でするキャッチボールは順調に進んでいるとお答えをさせていただきます。

井村 ：引き続きまして、BofA 証券の豆ヶ野様、よろしくお願いします。

豆ヶ野 ：私から二つありまして、まず一つは ONO-1110 ですけれども、今回非常に説明がわかりやすくて、ありがとうございました。

THC に対しても安全性が差別化になるかなと思うんですけれども、今回の得られたデータが、プラセボ対比で有効性がありそうに見える一方で、THC との比較という意味で、ちょっと THC の方がやっぱり効果面では高いんじゃないかなという気がするんですけれども。

次のステップで THC と比較しない中で有効性が十分コンペタティブであることを言えるのかどうかですね。次の試験でプラセボ比較でどれぐらいの有効性があれば、THC と比較しなくても有効性があると言えると思っていらっしゃるのか、お願いします。

岡本 ：先ほど関さんとのやり取りでもご回答申し上げたことに関係するんですけど、ターゲットバリューと置いていたところが、いわゆるプラセボとの群間差になっておりまして、末梢神経障害性疼痛、間質性膀胱炎、線維筋痛症、それぞれでこのターゲットバリューというところは変わってきますけれども、現状、世の中的に使える薬剤を参考にしてそれぞれ設定しておりますので、それよりも有効性のマグニチュードが大きければ、あるいは同等程度であれば、十分にアンメットニーズを満たす薬剤になると考えております。

一般論としてプラセボ対照試験が推奨されておりまして、実薬対照で差を示す必要性はないと考えています。

豆ヶ野 ：もう 1 点が ONO-4578 です。今回フェーズ 3 試験を始められるということで、ClinicalTrials.gov も拝見したんですけれども、クローディンの取り扱いについてちょっと教えていただきたいと思います。

見る感じ、クローディンの発現によらず、オールカマーで行われるのかなと理解したんですけど、まずそれでいいのかどうか。あと、クローディン陽性例に関しては、ゾルベツキシマブが標準治療の一つだと思うんですけれども、試験中の併用は許容されているのかどうかということですね。

あと OS で評価されるということで、その後治療のところでクロスオーバーが許容されているかどうか。その辺りについて教えてください。

岡本 ：まず対象となる集団については、公表している情報以上のことは、大変恐縮なんですが、プロトコールの子細を申し上げることになりますので、申し上げられないところがありまして、ご容赦ください。

あくまで PD-L1、CPS 陽性、本年の R&D 説明会でもご紹介しましたけれども、いわゆるクローディンが陽性で、CPS が陰性であれば、一般論として本治験に登録を考えることはもちろんないですし、クローディンが陽性で、CPS も陽性であるときに、治験、あるいは標準治療のどちらを選択いただくのか、ゾルベツキシマブを使われるのかは、PI の先生方の判断かなと思っております。

OS 検証ですが、クロスオーバーというところにつきましては、世界的にファーストラインの治療としてゾルベツキシマブも、それから PD-1 抗体と化学療法の併用レジメン、今回の場合ですとオプジーボ＋化学療法ですけれども、これは標的タンパクの発現等によって違うところはありますけれども、どちらも使えるんですけれども、代わりにシークエンスで使っていいと認められているところはないと承知しておりまして、クロスオーバーを許容する・しないということは、少なくともわれわれとしては、規定はしていません。

一方で、ご承知かもしれませんが、最近になって他社さんのもので、セカンドライン以降を対象としたクローディンに対する新規薬剤の成功例がいくつか出てきておりますが、これらの薬剤が使用可能となった場合、OS 検証ですので、後に何を使われても特段何も言えないというのが OS の試験になりますので、そういった設計になっております。

井村 ：引き続きまして大和証券の橋口様、よろしくお願いいたします。

橋口 ：ONO-1110 の層別解析をしていない全体集団での成績は、御社の有効という基準には満たなかったものの、いちおう数値的には有効性の傾向はあったという理解でいいんでしょうか。

岡本：判断基準のところで、どこにはまったかを申し上げるのは差し控えますが、NRS の推移で考えた場合、主要評価項目となっていますけれども、ここで先ほどの規定した幅に入ってこなかったかもしれませんが、プラセボとべったりくっついていて、全然薬効が見えていないじゃないかということはなかった、ということは申し上げておきます。

マグニチュードがわれわれの判断の軸には入ってこなかったけれども、ONO-1110 が有効性を示しているということは全体集団では見えていると考えています。

橋口：あと、痛覚変調性疼痛では有効性が期待できず、神経障害性疼痛や侵害受容性疼痛のみで有効性が期待できるというのは、メカニズム的にそういった仮説は成り立つのか。今回 3 種類の中で結果にちょっと違いがあったというのは偶然なのか、何か説明がつくのかというのはいかがでしょうか。

岡本：対象疾患の絵が出てきますかね。

説明は、疼痛疾患のそれぞれの大きく三つに分類されるところに対して、なぜ痛覚変調性疼痛の代表である線維筋痛症でちょっと見えなかったかというところの説明は、むしろそうではなくて、線維筋痛症の PoC 試験で薬効評価をするのに適した集団を選択するのが難しかったと私どもは捉えております。

そのため、反対に言いますと、そこを、確実に薬効を見出せる。これは、べつにそこにしか効かないというわけではなくて、薬剤の有効性評価をするのに適した集団というのが、今回の PoC 試験ではちょっとそこができなかったと。一方で上の二つにつきましては、そこが実行できたので、結果的に有効性を見出せたと考えています。

橋口：それは、うまくいった二つの試験の層別解析の結果から、線維筋痛症の試験ではそういうふうになっていた、という考察を得られたということですか。

岡本：例えば一例を申し上げると、帯状疱疹後神経痛は、まず発症契機がクリアです。病名の通りです。間質性膀胱炎は違うんですが、線維筋痛症は、やはり診断がつくまでの時間が非常に長いとか、疾患特異的な背景の部分でばらつきがあるというところがありまして、なかなか適した集団を試験開始前から絞り込むということは難しかったと考えています。

橋口：最後に一つだけ。ONO-2808 のプライマリーエンドポイント、モディファイの仕方を変更されていると思うんですけど、これはどういった狙いで変更されたのか。フェーズ 2 の再現性についてどう考えればいいのか教えてください。

岡本 ：どういった狙いでというところは、申し訳ありません。戦略上の理由があるんですが、R&D 説明会のときもお話したと思うんですが、この設定で、試験開始前の段階で規制当局と合意ができておりますので、というところまででご容赦いただけますでしょうか。

井村 ：ニッセイアセットマネジメント株式会社の八並様、よろしくお願いいたします。

八並 ：来年度から新たな中計が始まるタイミングと認識しておりまして、今年度も他社、いくつか中計を出されておりますが、滝野社長がおっしゃられていたように、パイプラインの充実化が着実に進展しているという中では、長期の戦略や方向性を出すのには非常に良いタイミングなのかなとも思います。

これまでも中計の開示については、定期的な対話等々で資本市場ともディスカッションされてきたと思いますし、私の方でも対話してきたと思いますが、改めて滝野社長のご自身の次期中計に対するお考えや開示について教えていただくことはできますでしょうか。よろしくお願いします。

滝野 ：現在、ご理解された通り、sapablursen。sapablursen は今日触れませんでしたけれども、sapablursen、ONO-4578、ONO-2808、そういったものに今回 ONO-1110 が乗っかってくるということになります。2030 年前後からのパイプラインの候補、材料にだいぶ厚みが増してきているということで、その一つ一つがアンメットにしっかり応えていけるような材料になってきているのではないかという自信とともに、期待感も大きくなってきておるところでございます。

今のところは、どういった形で中計を皆さんに説明していける状況でいけるかなというのはまだ検討中でございますけれども、しっかりと、こういう将来の成長ドライバーですね。特に 2030 年以降はオプジーボ以降の新たな成長フェーズを目指しているところでございますので、そこに向けて先行投資していく時期かなということについては考えていっているところでございます。

井村 ：続きまして、JP モルガンの若尾様、よろしくお願いいたします。

若尾 ：一つ目が ONO-1110 について確認ですが、層別解析されて有効と判断された集団においては、プラセボに対する有意差が認められているんですか。単純にそれを事前に設定して、ご説明もあったその有効性の判断基準にミートしていたということですか。

岡本 ：今回、有意差検定は、統計処理としてはやっていません。主要評価項目においても有意差検定はしていなくて、検定はしませんが、ある信頼区間、何%信頼区間かは今日は開示を差し控えますけれども、ある信頼区間を設定した上で、検討をやっております。

例を挙げますと、例えば 95%信頼区間、上限・下限を引いた場合には、そこをまたがなければ一般的にα0.05 のときに有意差あり、みたいな話になるかと思うんですけれども、今回、有意差検定はしておりませんので、そこはまず前提としてご理解いただきたいと思います。

簡単に言いますと、層別解析をした結果、信頼区間として十分そこの信頼ができるところに入ってきているという解釈をしている、とご理解いただければと思います。

若尾：二つ目が ONO-2020 についてですけど、こちらについては、年内にはデータが出てくるということだと思うんですけれど、このフェーズ 1 で、CSF の濃度の測定をされていると思いますので、中枢移行性は確認できているということかと思います。

その上で、想定している薬理作用が人で実際に起きるかどうかを確認する指標が P1 で設定されていて、それを評価された上で、P2 に進んでいるのかどうなのか知りたいです。仮に設定されているバイオマーカーみたいなのを見ているならば、フェーズ 1 できちんと薬理作用の変化も確認できていると考えていいでしょうか。

岡本：まずフェーズ 1 ですけれども、以前もお答えしたかもしれませんが、こちらは健康成人対象で行いましたので、いわゆる薬理作用を見るというところはちょっと難しいかなと考えております。

バイオマーカー云々のところについては、これまでに開示、公表していないものについてはこちらで言及することはできませんが、ただ一つ言えることは、P2 はプラセボと実薬を比較して検討をしています。こちらの ONO-2020 の試験結果は確実に年内にはお伝えできるというところで、回答はご容赦いただきたいと思います。

若尾：何となく想定されるメカニズムから、バイオマーカーは置けるのかなと思っていたんですが、その辺はちょっと今は教えていただけないということですかね。

岡本：すみません。

井村：ちょっと時間が超過しておりまして、最後、医薬通信社の石井様、お願いします。

石井：今日、かなりご説明されていた通り、CNS 部門がかなり充実してきたということで、この部分においてどのぐらいの規模を目指しておられるのか教えていただきたいんですが。

滝野：規模とおっしゃっておられますのは、売上規模みたいな。患者数とかに関しては、多少最後、岡本が示したスライドに入っていたかなとは思うんですけれども。私ども、ペインの適応症、しかもそのペインも、ポテンシャルとして三つの方向性で展開可能であって、しかもその前に

ONO-2808 の神経変性疾患のところで、ここはもうハイアンメットの状況で、薬のない領域でございます。

そういう中で、もしグローバルの展開でしっかりと上市に結び付けていければ、製品のプロファイルを考えますと、比較的使いやすい薬剤になっていく可能性を大いに秘めているなとも期待しております。そういう意味では、私どもの次のフェーズの成長ドライバーにしっかりと貢献していって、オプジーボによってここまで成長してきた先の成長の上積みを作っていける製品規模になるのではないかというのが、定性的な回答になります。

大いに期待いただけたらいいのではないかなとは思いますし、先ほどもいくつかアナリストの方々からも質問がございましたけれども、ONO-2020 の結果も、今の段階で色合いを込めたようなコメントをするつもりもございませんけれども、ぜひまた期待していただけたらいいのではないかなとは思っております。

井村 ：まだたくさん手を挙げていただいておりますが、時間となりましたので、これで Q&A のセッションを終わりにさせていただきます。

以上をもちまして、2027 年 3 月期の第 2 四半期の決算説明会を終了させていただきます。皆様、本日は長時間にわたりましてご参加いただきまして、誠にありがとうございました。