

# Pioneering a Path Forward

Rhythm<sup>®</sup>  
PHARMACEUTICALS

RARE MELANOCORTIN-4 RECEPTOR  
(MC4R) PATHWAY DISEASES  
Mechanism of Disease



リズムファーマ株式会社 会社案内

リズムファーマ株式会社

東京都千代田区大手町1丁目9-2  
大手町フィナンシャルシティグランキューブ3階

JP-RHY-2500009  
2026年1月作成

Rhythm<sup>®</sup>  
PHARMACEUTICALS

# Pioneering a Path Forward

## 新たな道を切り拓く

リズムファーマ株式会社は、希少な神経内分泌疾患を抱える患者さんの生活を向上させるため、病気の根本的な原因にアプローチする革新的な治療法の開発に取り組んでいます。医療従事者の皆様と連携し、患者さん一人ひとりに最適な治療を届けることが私たちの使命です。

### 患者さん・介護者・ 医療従事者との連携

現場の声を丁寧に拾い上げ、最も重要なアンメットニーズを特定することで、患者さんへの適切なケアを可能にします。

### 希少疾患に 特化した専門知識

メラノコルチン4型受容体 (MC4R) 経路異常がもたらす疾患における複雑な課題を理解し、解決に向けた知見を蓄積しています。

### 統合的アプローチ

トランスレーショナルリサーチと臨床開発を融合し、現在、そして未来にわたり革新的な医療を提供します。

## Culture

### Mission 使命

私たちは希少な神経内分泌疾患の根本原因に対する最適な医療と、一人ひとりに合った治療を通じて患者さんが安心して前向きに人生を歩めるよう、その進化を加速させていきます。

### Vision ビジョン

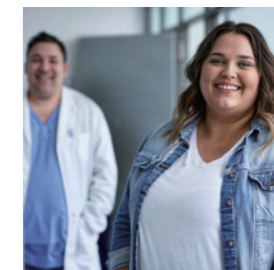
私たちは、希少な神経内分泌疾患を抱える患者さんとそのご家族が、偏見なく最適な治療を受けることで、最高に充実した人生を送ることができる環境の実現を目指します。

### Value 価値観

- 患者さんの生活を改善するために、科学的理解を深めることにコミットします。
- 自発的に難しい課題に取り組み、勇気を持って率直な対話を重ねます。
- 学び、適応することに意欲的に取り組みます。
- 協力が主体性がリズムファーマの成功の礎であると信じて取り組みます。
- ミッションを実現するために、一人ひとりの貢献を重視します。

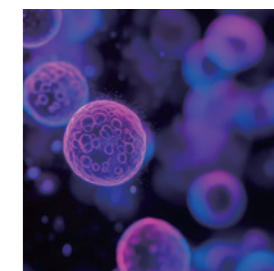
## Company

所在地 東京都千代田区大手町1丁目9-2 大手町フィナンシャルシティグランキューブ3階  
設立 2024年10月  
事業内容 医薬品の研究開発、製造、輸出入、販売および流通  
親会社 Rhythm Pharmaceuticals, Inc. (米国マサチューセッツ州ボストン)



## History

- 2008年 Rhythm Pharmaceuticals, Inc. 米国ボストンにて創業
- 2017年 Rhythm Pharmaceuticals, Inc. 米国NASDAQ市場に上場
- 2024年 日本法人Rhythm Pharmaceuticals Japan株式会社設立
- 2025年 第一種医薬品製造販売業許可取得
- 2026年 リズムファーマ株式会社へ商号変更



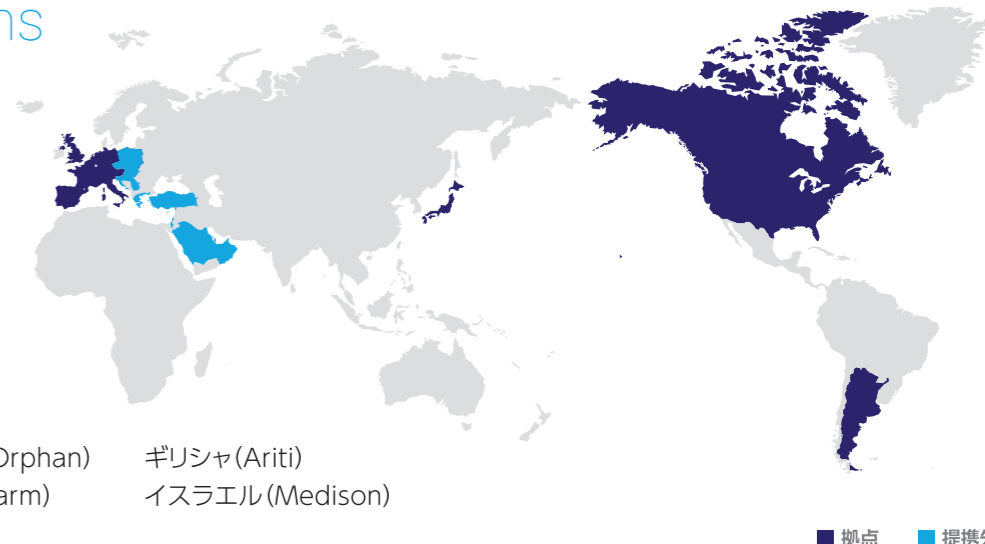
## Global Locations

### 拠点

アメリカ	カナダ
アルゼンチン	オーストリア
ベルギー	フランス
ドイツ	イタリア
日本	スペイン
スイス	オランダ
イギリス	ポルトガル

### 提携先

中央・東ヨーロッパ (ExCEEEd Orphan)	ギリシャ (Ariti)
湾岸協力会議加盟国 (Genpharm)	イスラエル (Medison)
トルコ (Trispera)	



■ 拠点 ■ 提携先

### MC4R経路とは

MC4R経路は、食欲とエネルギーバランスの調節に重要な役割を果たしています。この経路が障害されると、過食(満たされることがない過度な食欲)や肥満を引き起こす可能性があります。エネルギーバランスは、環境的要因だけでなく遺伝的要因も大きく関与しています。近年の研究により、一部の遺伝子変異や、また後天的に視床下部が損傷した場合、過食や肥満に関与することが示されており、その影響には個人差があります。

リズムファーマ株式会社は、このようなMC4R経路に関連する希少疾患に対する治療の変革に取り組んでいます。

**MC4R経路**  
食欲とエネルギーバランスを調節し  
体重を制御

**レプチンの役割**  
視床下部のMC4R経路を活性化させ  
食欲抑制とエネルギー消費に関与

**エネルギーバランスの破綻**  
MC4R経路の損傷により  
過食や重度肥満の発症を誘発