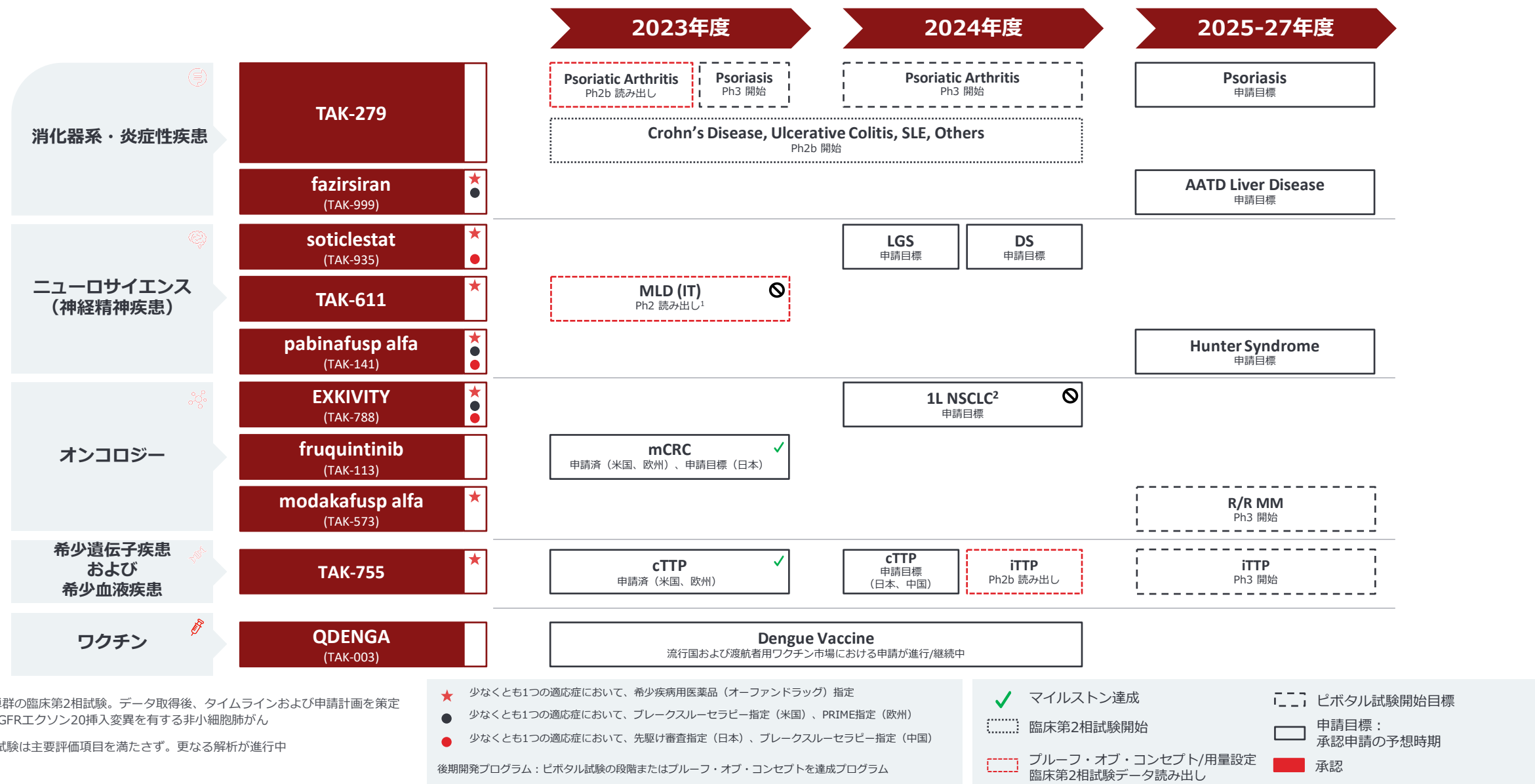


今後転換点を迎える有望な後期開発プログラム



全てのタイムラインは2023年7月27日時点におけるおおよその予測で、変更される場合があります、また臨床試験・承認申請の結果に左右されます。表中の研究開発マイルストーンは包括的なものではありません。疾患名等の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

中期開発パイプラインではデータに基づく意思決定を実行



ブルーフ・オブ・コンセプト（POC）：POCの達成は、ピボタル試験または後期開発プログラムを開始するのに十分な臨床データが得られたことを意味する。臨床試験データの「読み出し」とは、以下のいずれかの場合を指す：

（1）該当する臨床データの取得、（2）取得した臨床データに対する必要な分析およびレビューの完了、（3）（要請される場合または通常の慣例や実務慣行に基づく場合）取得したデータについて該当する規制当局との協議

読み出しが複数のPOC試験に関連する適応症クラス（例、固形がん）を指す場合は、以下のいずれか早い方のタイミング：

（1）当該適応症クラス初めてのPOC達成、または（2）当該適応症クラスにおける全てのPOC試験の結果を取得

- 主な早期段階のマイルストーン
- ブルーフ・オブ・コンセプトのデータ読み出し目標
- ★ 少なくとも1つの適応症において、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定
- 少なくとも1つの適応症において、先駆け審査指定（日本）、ブレイクスルーセラピー指定（中国）
- ✓ マイルストーン達成

短期に予定する重要なライフ・サイクル・マネジメントの拡大がもたらす 大きな成長機会



	2023年度	2024年度
消化器系・炎症性疾患	ENTYVIO® 申請目標 皮下投与製剤 CD（米国） ALOFISEL® 申請目標 複雑痔瘻（米国）	maralixibat 申請目標 ALGS、PFIC（日本）
オンコロジー	ICLUSIG® 申請目標 1L Ph+ ALL（米国） CABOMETYX® 申請目標 CRPC（日本）	
希少遺伝子疾患 および 希少血液疾患	LIVTENCITY® 申請目標 R/R CMV（日本）¹	
血漿分画製剤	HYQVIA® 申請目標 PID（日本） TAK-880 申請目標 RTU IgG低IgA（欧州） GAMMAGARD LIQUID® 申請済 CIDP（米国）	HYQVIA® 申請目標 CIDP、MMN（日本）

1. 移植後サイトメガロウイルス（CMV）感染/感染症

承認済

申請目標

マイルストーン達成

全てのタイムラインは2023年7月27日時点におけるおおよその予測で、変更される場合があります。また臨床試験・承認申請の結果に左右されます。表中の研究開発マイルストーンは包括的なものではありません。疾患名等の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

略語の用語集



地域に関する略語:

CN: 中国; EU: 欧州; JP: 日本; UK: 英国; US: 米国

AAD	American Academy of Dermatology（米国皮膚科学会）
AATD	α 1-antitrypsin deficiency（ α 1アンチトリブシン欠乏症）
AATD LD	α 1-antitrypsin deficiency associated liver disease （ α 1-アンチトリブシン欠乏症による肝疾患）
ADAMTS13	a disintegrin-like and metalloproteinase with a thrombospondin type 1 motifs 13 （トロンボスポンジン1型モチーフ13を有するディスインテ グリンおよびメタロプロテイナーゼ）
ADHD	attention deficit hyperactivity disorder （注意欠陥多動性障害）
ALGS	Alagille syndrome（アラジール症候群）
ALK	anaplastic lymphoma kinase（未分化リンパ腫キナーゼ）
ALL	acute lymphocytic leukemia（急性リンパ性白血病）
AVA	advanced vial access（改良型バイアルアクセス）
BLA	biologics license application（生物製剤承認申請）
BTD	breakthrough therapy designation（画期的新薬指定）
CAR NK	chimeric antigen receptor natural killer cell （キメラ抗原受容体-ナチュラルキラー細胞）
CD	Crohn's disease（クローン病）
CHMP	Committee for Medicinal Products for Human Use （欧州医薬品委員会）
CIDP	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy （慢性炎症性脱髄性多発根神経炎）
CML	chronic myeloid leukemia（慢性骨髄性白血病）
CMV	cytomegalovirus（サイトメガロウイルス）
CPF	complex perianal fistulas（複雑痔瘻）
CRC	colorectal cancer（大腸がん）
CRL	complete response letter（審査完了報告通知）
CRPC	castrate-resistant prostate cancer （去勢抵抗性前立腺がん）
CTCL	cutaneous T Cell Lymphoma（皮膚T細胞性リンパ腫）
cTTP	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura （先天性血栓性血小板減少性紫斑病）
DOAC	direct oral anti-coagulation（直接作用型経口抗凝固薬）
DS	Dravet syndrome（ドラベ症候群）
EASL	European Association for the Study of the Liver （欧州肝臓学会）
EGFR	epidermal growth factor receptor（上皮増殖因子受容体）

EMA	European Medicines Agency（欧州医薬品庁）
ESS	Epworth Sleepiness Scale（エプワース眠気尺度）
FDA	the U.S. Food & Drug Administration（米国食品医薬品局）
FL	front line（フロントライン適応）
FSI	first subject in（最初の患者登録）
FY	fiscal year（年度）
GI	gastrointestinal（胃腸）
GvHD	graft versus host disease（移植片対宿主病）
H2H	head to head（直接比較）
HAE	hereditary angioedema（遺伝性血管浮腫）
HemA	hemophilia A（血友病A）
HSCT	hematopoietic stem cell transplant（造血幹細胞移植）
IARS	International Anesthesia Research Society （国際麻酔学研究学会）
IBD	inflammatory bowel disease（炎症性腸疾患）
IgA	immunoglobulin A（免疫グロブリンA）
IgAN	immunoglobulin A nephropathy（IgA腎症）
IgG	immunoglobulin G（免疫グロブリンG）
IND	investigational new drug（治験薬）
ITP	immune thrombocytopenic purpura （免疫性血小板減少性紫斑病）
INN	international non-proprietary name（国際一般名称）
IRR	incidence rate ratio（発生率比）
ISTH	International Society on Thrombosis and Haemostasis （国際血栓止血学会）
IT	Intrathecal（髄腔内）
iTTP	immune thrombotic thrombocytopenic purpura （免疫性血栓性血小板減少性紫斑病）
IV	intravenous（静脈投与）
JAK	Janus kinase（ヤヌスキナーゼ）
JPNS	Journal of the Peripheral Nervous System （末梢神経学会誌）
LCM	lifecycle management（ライフ・サイクル・マネジメント）
LGS	Lennox-Gastaut Syndrome（レノックス・ガストー症候群）

mCRC	metastatic colorectal cancer（転移性大腸がん）
mCRPC	metastatic castrate-resistant prostate cancer （転移性去勢抵抗性前立腺がん）
MDD	major depressive disorder（大うつ病）
MG	myasthenia gravis（重症筋無力症）
MLD	metachromatic leukodystrophy （異染性白質ジストロフィー）
MM	multiple myeloma（多発性骨髄腫）
MMN	multifocal motor neuropathy（多巣性運動ニューロパチー）
MSA	multiple system atrophy（多系統萎縮症）
MWT	maintenance of wakefulness test（覚醒維持検査）
NASH	non-alcoholic steatohepatitis（非アルコール性脂肪肝炎）
ND	newly diagnosed（新たに診断された）
NDA	new drug application（新薬承認申請）
NEJM	New England Journal of Medicine
NK	natural killer（ナチュラルキラー）
NME	new molecular entity（新規候補物質）
NMPA	(China's) National Medical Products Administration （中国国家薬品监督管理局）
NSCLC	non-small cell lung cancer（非小細胞肺がん）
NT1 or 2	narcolepsy Type 1（ナルコレプシータイプ1） or narcolepsy Type 2（ナルコレプシータイプ2）
PASI	psoriasis area and severity index （乾癬の重症度を表す指標）
PFIC	progressive familial intrahepatic cholestasis （進行性家族性肝内胆汁うっ滞症）
Ph+ ALL	Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia （フィラデルフィア染色体陽性ヒト急性リンパ性白血病）
PID	primary immunodeficiency（原発性免疫不全）
PK	pharmacokinetics（薬物動態）
PMDA	Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency （医薬品医療機器総合機構）
POC	proof of concept（概念実証）
PRIME	Priority medicines scheme by EMA （EMAによる優先審査制度）
PTCL-NOS	peripheral T-cell lymphoma not otherwise specified （末梢性T細胞リンパ腫 非特定型）
QD	quaque die, every day（1日1回投与）

R/R	relapsed/refractory（再発/難治性）
RTU	ready to use（調製済み）
SC	subcutaneous formulation（皮下投与製剤）
SCD	sickle cell disease（鎌状赤血球症）
SCPCD	severe congenital protein C deficiency （重症先天性プロテインC欠乏症）
SCT	stem cell transplant（幹細胞移植）
SID	secondary immunodeficiency（続発性免疫不全）
SLE	systemic lupus erythematosus （全身性エリテマトーデス）
SOC	standard of care（標準治療）
TEAE	treatment emergent adverse event （試験治療下での有害事象）
TKI	tyrosine kinase inhibitor （チロシンキナーゼ阻害剤）
TTP	thrombotic thrombocytopenic purpura （血栓性血小板減少性紫斑病）
TYK2	tyrosine kinase 2（チロシンキナーゼ2）
UC	ulcerative colitis（潰瘍性大腸炎）
VEGFR	vascular endothelial growth factor receptors （血管内皮増殖因子受容体）
vWD	von Willebrand disease （フォン・ウィレブランド病）
WCR	weekly cataplexy rate（1週間あたりのカタプレキシー （情動脱力発作）発現率）
WW	Worldwide（全世界）