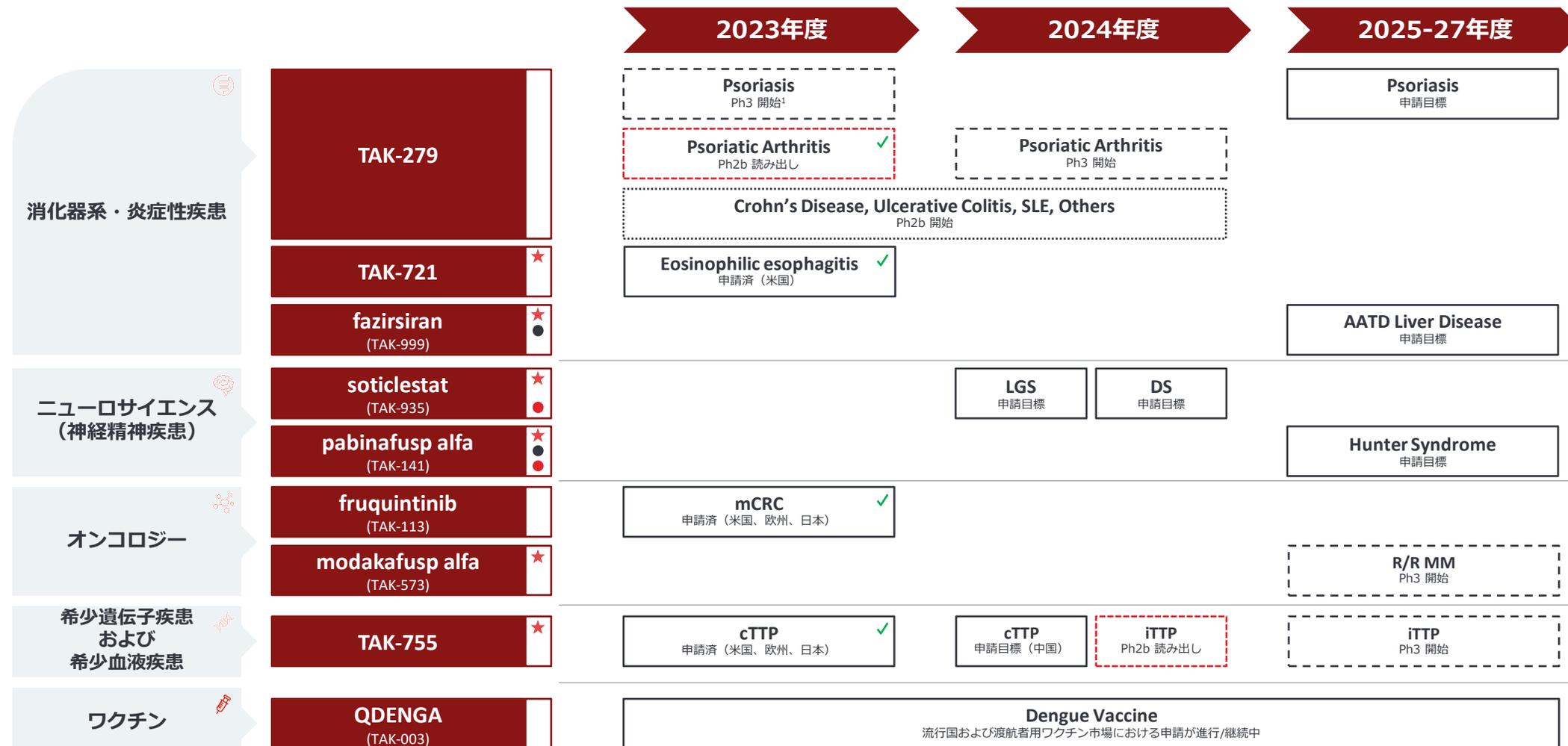


今後転換点を迎える有望な後期開発プログラム



- ★ 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、ブレイクスルーセラピー指定（米国）、PRIME指定（欧州）
- 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）

後期開発プログラム：ピボタル試験の段階またはブルーフ・オブ・コンセプトを達成プログラム

- ✓ マイルストーン達成
- ⋯ 臨床第2相試験開始
- ⋯ ブルーフ・オブ・コンセプト/用量設定
臨床第2相試験データ読み出し

- ⋯ ピボタル試験開始目標
- 申請目標：承認申請の予想時期
- 承認

1. TAK-279 臨床第3相試験 [clinicaltrials.gov : NCT06088043](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06088043)
 全てのタイムラインは2023年10月26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き意思決定



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：

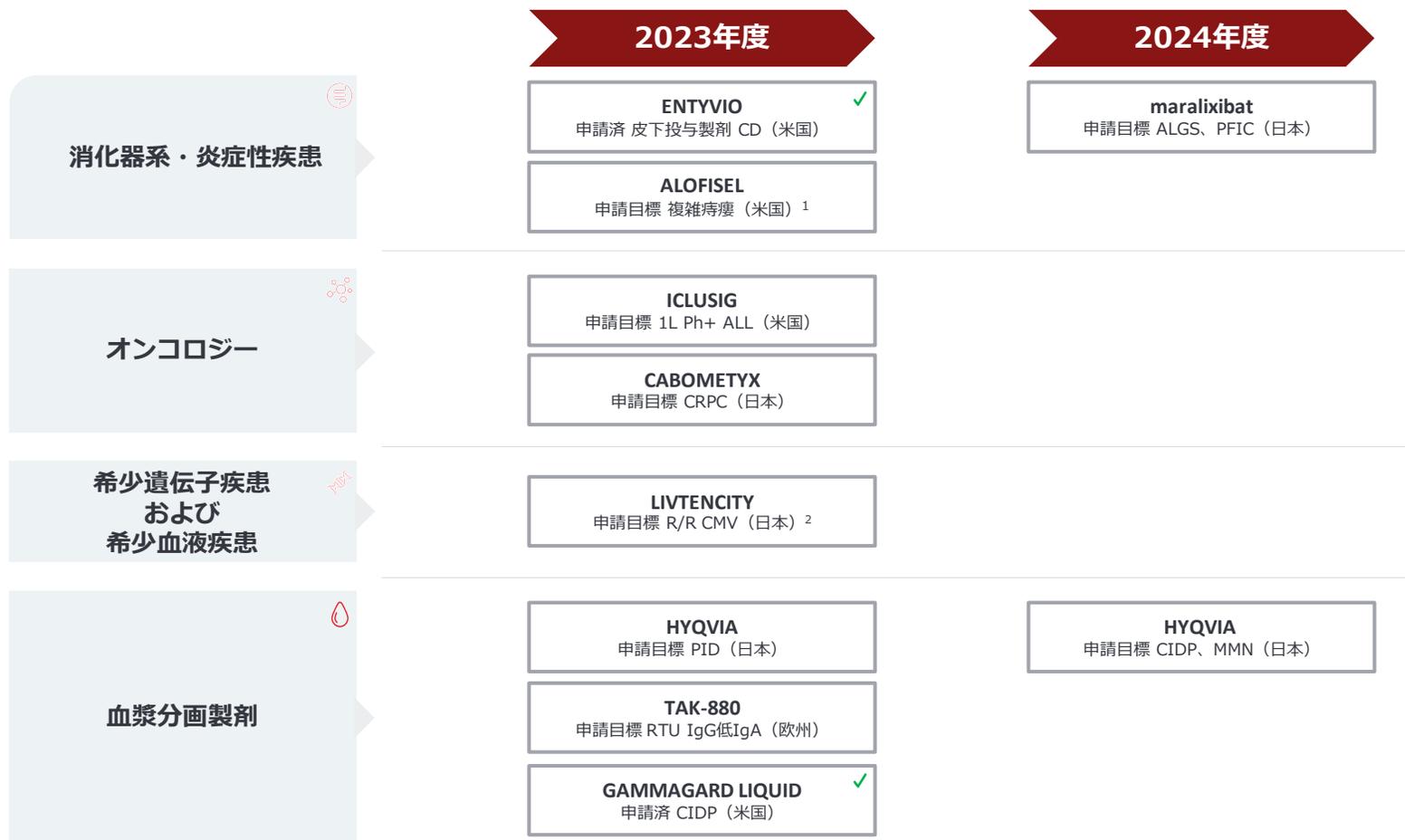
(1) 該当する臨床データの取得、(2) 取得した臨床データに対する必要な分析およびレビューの完了、(3) (要請される場合または通常の慣例や実務慣行に基づく場合) 取得したデータについて該当する規制当局との協議

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

短期的に展開される重要なライフ・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



1. 米国申請を想定して実施したALOFISELの臨床第3相ADMIRE-CD II試験は主要評価項目を達成せず
 2. 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

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)	DSQ	Dysphagia Symptom Questionnaire (嚥下障害症状質問票)	mCRC	metastatic colorectal cancer (転移性大腸がん)	R/R	relapsed/refractory (再発/難治性)
AATD	α 1-antitrypsin deficiency (α 1アンチトリプシン欠乏症)	EGFR	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	mCRPC	metastatic castrate-resistant prostate cancer (転移性去勢抵抗性前立腺がん)	RTU	ready to use (調製済み)
AATD LD	α 1-antitrypsin deficiency associated liver disease (α -1アンチトリプシン欠乏症による肝疾患)	EMA	European Medicines Agency (欧州医薬品庁)	MDD	major depressive disorder (大うつ病)	SC	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
ACR	American College of Rheumatology (米国リウマチ学会)	EoE	eosinophilic esophagitis (好酸球性食道炎)	MG	myasthenia gravis (重症筋無力症)	SCD	sickle cell disease (鎌状赤血球症)
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)	ESS	Epworth Sleepiness Scale (エプワース眠気尺度)	MLD	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	SCPCD	severe congenital protein C deficiency (重症先天性プロテインC欠乏症)
ADHD	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	FDA	the U.S. Food & Drug Administration (米国食品医薬品局)	MM	multiple myeloma (多発性骨髄腫)	SCT	stem cell transplant (幹細胞移植)
ALGS	Alagille syndrome (アラジール症候群)	FL	front line (フロントライン適応)	MMN	multifocal motor neuropathy (多巣性運動ニューロパチー)	SID	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
ALK	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	FSI	first subject in (最初の患者登録)	MSA	multiple system atrophy (多系統萎縮症)	SLE	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
ALL	acute lymphocytic leukemia (急性リンパ性白血病)	FY	fiscal year (年度)	MWT	maintenance of wakefulness test (覚醒維持検査)	SOC	standard of care (標準治療)
AVA	advanced vial access (改良型バイアルアクセス)	GI	gastrointestinal (胃腸)	NASH	non-alcoholic steatohepatitis (非アルコール性脂肪肝炎)	TEAE	treatment emergent adverse event (試験治療下での有害事象)
BID	bis in die (1日2回投与)	GvHD	graft versus host disease (移植片対宿主病)	ND	newly diagnosed (新たに診断された)	TKI	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
BLA	biologics license application (生物製剤承認申請)	H2H	head to head (直接比較)	NDA	new drug application (新薬承認申請)	TTP	thrombotic thrombocytopenic purpura (血栓性血小板減少性紫斑病)
BTD	breakthrough therapy designation (画期的新薬指定)	HAE	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	NEJM	New England Journal of Medicine	TYK2	tyrosine kinase 2 (チロシンキナーゼ2)
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)	HemA	hemophilia A (血友病A)	NK	natural killer (ナチュラルキラー)	UC	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
CD	Crohn's disease (クローン病)	HL	Hodgkin lymphoma (ホジキンリンパ腫)	NME	new molecular entity (新規候補物質)	VEGFR	vascular endothelial growth factor receptors (血管内皮増殖因子受容体)
CHMP	Committee for Medicinal Products for Human Use (欧州医薬品委員会)	IARS	International Anesthesia Research Society (国際麻酔学研究会)	NMPA	(China's) National Medical Products Administration (中国国家薬品监督管理局)	vWD	von Willebrand disease (フォン・ヴィレブランド病)
CIDP	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髄性多発根神経炎)	IBD	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	NSCLC	non-small cell lung cancer (非小細胞肺癌)	WCR	weekly cataplexy rate (1週間あたりのカタプレキシ- (情動脱力発作) 発現率)
CML	chronic myeloid leukemia (慢性骨髄性白血病)	IgA	immunoglobulin A (免疫グロブリンA)	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)	WW	Worldwide (全世界)
CMV	cytomegalovirus (サイトメガロウイルス)	IgAN	immunoglobulin A nephropathy (IgA腎症)	PASI	psoriasis area and severity index (乾癬の重症度を表す指標)		
CPF	complex perianal fistulas (複雑痔瘻)	IgG	immunoglobulin G (免疫グロブリンG)	PFIC	progressive familial intrahepatic cholestasis (進行性家族性肝内胆汁うっ滞症)		
CRC	colorectal cancer (大腸がん)	IND	investigational new drug (治験薬)	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)		
CRL	complete response letter (審査完了報告通知)	INN	international non-proprietary name (国際一般名称)	PID	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)		
CRPC	castrate-resistant prostate cancer (去勢抵抗性前立腺がん)	IRR	incidence rate ratio (発生率比)	PK	pharmacokinetics (薬物動態)		
CTCL	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	IT	Intrathecal (髄腔内)	PMDA	Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (医薬品医療機器総合機構)		
cTTP	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性血栓性血小板減少性紫斑病)	ITP	immune thrombocytopenic purpura (免疫性血小板減少性紫斑病)	POC	proof of concept (概念実証)		
DOAC	direct oral anti-coagulation (直接作用型経口抗凝固薬)	iTTP	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	PRIME	Priority medicines scheme by EMA (EMAによる優先審査制度)		
DS	Dravet syndrome (ドラベ症候群)	IV	intravenous (静脈投与)	PTCL-NOS	peripheral T-cell lymphoma not otherwise specified (末梢性T細胞リンパ腫 非特定型)		
		JAK	Janus kinase (ヤヌスキナーゼ)	QD	quaque die, every day (1日1回投与)		
		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)				