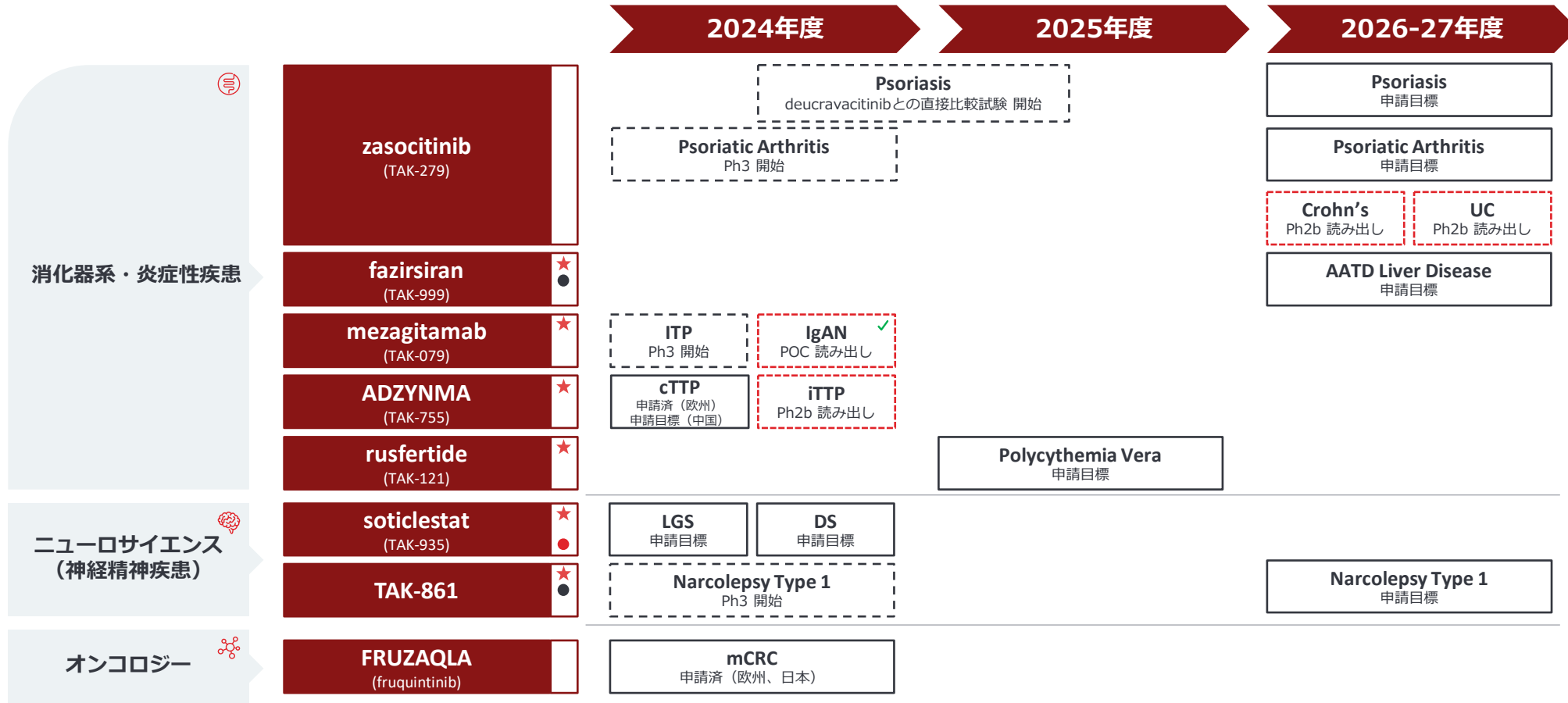


# 希少疾患と有病率がより高い疾患に対し、革新的な治療薬の開発を推進 6つの後期開発プログラムが大きな価値をもたらす可能性



- ★ 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）

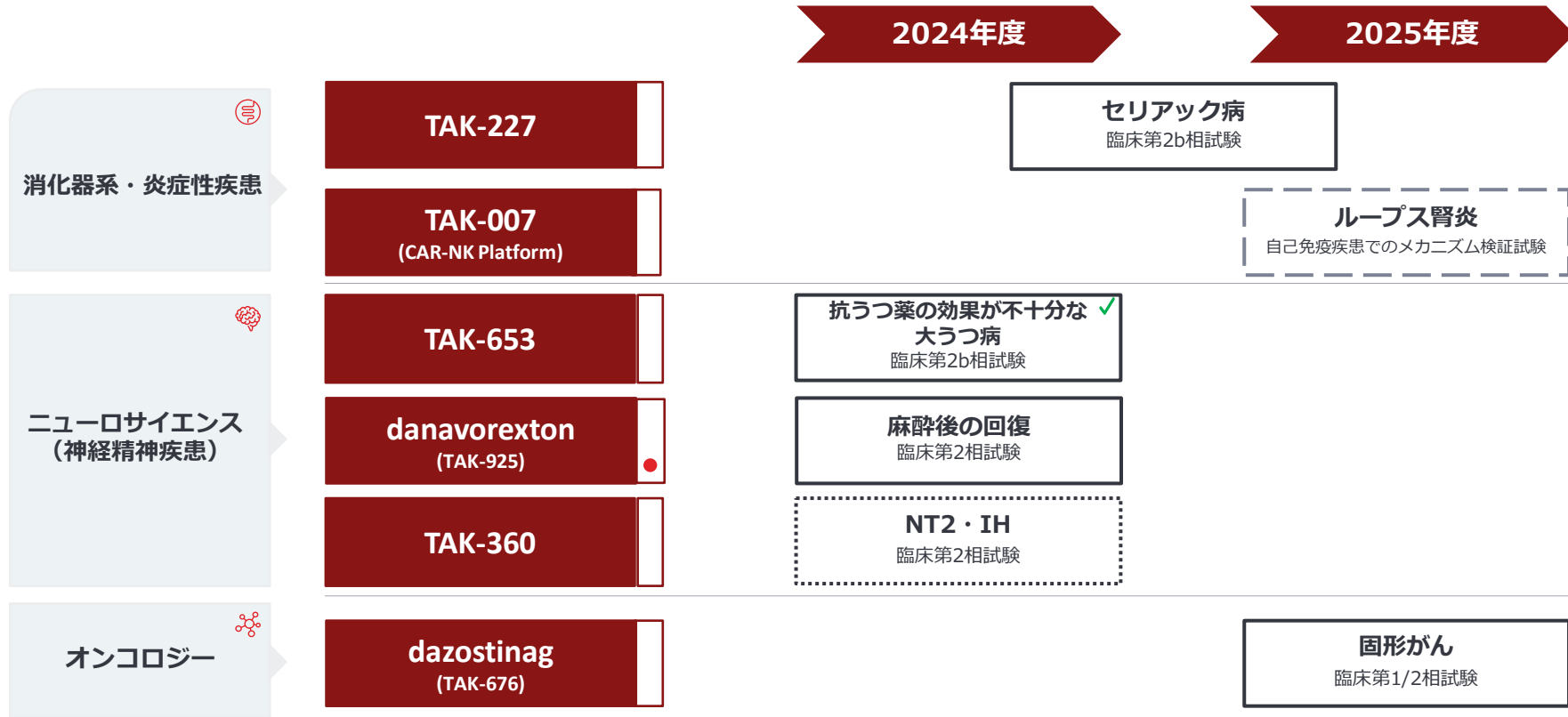
後期開発プログラム：ピボタル試験の段階またはブルーフ・オブ・コンセプトを達成プログラム

- 〰️--- ピボタル試験開始目標/臨床第3相試験開始目標
- 〰️--- 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
- ✓ マイルストーン達成

- 申請目標：承認申請の予想時期
- 承認

全てのタイムラインは2024年5月9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。

# 早期から中期開発段階のパイプラインの重要なマイルストーン 患者さんのアンメット・ニーズに対応し、サイエンスを前進させることを期待



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

- 臨床でのメカニズム検証試験
- ピボタル試験への進展を判断するためのブルーフ・オブ・コンセプト (POC)
- 臨床第2相試験開始
- 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

全てのタイムラインは2024年5月9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。

# 短期間で展開される重要なライフ・サイクル・マネジメントの推進が 大きな成長機会をもたらす



	2024年度	2025年度
消化器系・炎症性疾患 	<b>maralixibat</b> 申請目標 ALGS、PFIC (日本)	<b>ENTYVIO</b> 申請目標 Crohn's/UC 小児 (米国、欧州)
オンコロジー 	<b>ADCETRIS</b> ✓ 申請済 FL HL BrECADD (欧州) <sup>1</sup>	
	<b>CABOMETYX</b> 申請目標 CRPC (日本)	
血漿分画製剤 	<b>HYQVIA</b> 申請目標 CIDP、MMN (日本)	
	<b>KIOVIG / GAMMAGARD LIQUID</b> 申請目標 複数の効能 (日本)	
	<b>TAK-880</b> 申請目標 RTU IgG 低IgA (米国)	
ワクチン 	<b>QDENG A</b> 流行国および渡航者用ワクチン市場における申請が進行/継続中	

 申請目標  マイルストーン達成  
 承認

1. German Hodgkin Study Groupが実施したHD21試験のデータに基づく申請

全てのタイムラインは2024年5月9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

<b>AAD</b>	American Academy of Dermatology (米国皮膚科学会)	<b>DSQ</b>	Dysphagia Symptom Questionnaire (嚥下障害症状質問票)	<b>LGS</b>	Lennox-Gastaut Syndrome (レノックス・ガストー症候群)	<b>PTCL-NOS</b>	peripheral T-cell lymphoma not otherwise specified (末梢性T細胞リンパ腫 非特定型)
<b>AATD</b>	$\alpha$ 1-antitrypsin deficiency ( $\alpha$ 1アンチトリプシン欠乏症)	<b>EGFR</b>	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	<b>mCRC</b>	metastatic colorectal cancer (転移性大腸がん)	<b>QD</b>	quaque die, every day (1日1回投与)
<b>AATD LD</b>	$\alpha$ 1-antitrypsin deficiency associated liver disease ( $\alpha$ -1アンチトリプシン欠乏症による肝疾患)	<b>EMA</b>	European Medicines Agency (欧州医薬品庁)	<b>mCRPC</b>	metastatic castrate-resistant prostate cancer (転移性去勢抵抗性前立腺がん)	<b>R/R</b>	relapsed/refractory (再発/難治性)
<b>ACR</b>	American College of Rheumatology (米国リウマチ学会)	<b>EOE</b>	eosinophilic esophagitis (好酸球性食道炎)	<b>MDD</b>	major depressive disorder (大うつ病)	<b>RTU</b>	ready to use (調製済み)
<b>ADAMTS13</b>	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)	<b>ESS</b>	Epworth Sleepiness Scale (エプワース眠気尺度)	<b>MG</b>	myasthenia gravis (重症筋無力症)	<b>SC</b>	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
<b>ADHD</b>	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	<b>FDA</b>	the U.S. Food & Drug Administration (米国食品医薬品局)	<b>MLD</b>	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	<b>SCD</b>	sickle cell disease (鎌状赤血球症)
<b>ALGS</b>	Alagille syndrome (アラジール症候群)	<b>FL</b>	front line (フロントライン適応)	<b>MM</b>	multiple myeloma (多発性骨髄腫)	<b>SCPCD</b>	severe congenital protein C deficiency (重症先天性プロテインC欠乏症)
<b>ALK</b>	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	<b>FSI</b>	first subject in (最初の患者登録)	<b>MMN</b>	multifocal motor neuropathy (多巣性運動ニューロパチー)	<b>SCT</b>	stem cell transplant (幹細胞移植)
<b>ALL</b>	acute lymphocytic leukemia (急性リンパ性白血病)	<b>FY</b>	fiscal year (年度)	<b>MSA</b>	multiple system atrophy (多系統萎縮症)	<b>SID</b>	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
<b>AVA</b>	advanced vial access (改良型バイアルアクセス)	<b>GI</b>	gastrointestinal (胃腸)	<b>MWT</b>	maintenance of wakefulness test (覚醒維持検査)	<b>SLE</b>	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
<b>BID</b>	bis in die (1日2回投与)	<b>GvHD</b>	graft versus host disease (移植片対宿主病)	<b>NASH</b>	non-alcoholic steatohepatitis (非アルコール性脂肪肝炎)	<b>SOC</b>	standard of care (標準治療)
<b>BLA</b>	biologics license application (生物製剤承認申請)	<b>H2H</b>	head to head (直接比較)	<b>ND</b>	newly diagnosed (新たに診断された)	<b>TEAE</b>	treatment emergent adverse event (試験治療下での有害事象)
<b>BTD</b>	breakthrough therapy designation (画期的新薬指定)	<b>HAE</b>	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	<b>NDA</b>	new drug application (新薬承認申請)	<b>TKI</b>	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
<b>CAR NK</b>	chimeric antigen receptor natural killer cell (キメラ抗原受容体-ナチュラルキラー細胞)	<b>HemA</b>	hemophilia A (血友病A)	<b>NEJM</b>	New England Journal of Medicine	<b>TTP</b>	thrombotic thrombocytopenic purpura (血栓性血小板減少性紫斑病)
<b>CHMP</b>	Committee for Medicinal Products for Human Use (欧州医薬品委員会)	<b>HL</b>	Hodgkin lymphoma (ホジキンリンパ腫)	<b>NK</b>	natural killer (ナチュラルキラー)	<b>TYK2</b>	tyrosine kinase 2 (チロシンキナーゼ2)
<b>CIDP</b>	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髄性多発根神経炎)	<b>IARS</b>	International Anesthesia Research Society (国際麻酔学研究会)	<b>NME</b>	new molecular entity (新規候補物質)	<b>UC</b>	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
<b>CML</b>	chronic myeloid leukemia (慢性骨髄性白血病)	<b>IBD</b>	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	<b>NMPA</b>	(China's) National Medical Products Administration (中国国家薬品监督管理局)	<b>VEGFR</b>	vascular endothelial growth factor receptors (血管内皮増殖因子受容体)
<b>CMV</b>	cytomegalovirus (サイトメガロウイルス)	<b>IgA</b>	immunoglobulin A (免疫グロブリンA)	<b>NSCLC</b>	non-small cell lung cancer (非小細胞肺がん)	<b>vWD</b>	von Willebrand disease (フォン・ウィレブランド病)
<b>CPF</b>	complex perianal fistulas (複雑痔瘻)	<b>IgAN</b>	immunoglobulin A nephropathy (IgA腎症)	<b>NT1 or 2</b>	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)	<b>WCR</b>	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)
<b>CRC</b>	colorectal cancer (大腸がん)	<b>IgG</b>	immunoglobulin G (免疫グロブリンG)	<b>PASI</b>	psoriasis area and severity index (乾癬の重症度を表す指標)	<b>WW</b>	Worldwide (全世界)
<b>CRL</b>	complete response letter (審査完了報告通知)	<b>IH</b>	idiopathic hypersomnia (特発性過眠症)	<b>PFIC</b>	progressive familial intrahepatic cholestasis (進行性家族性肝内胆汁うっ滞症)		
<b>CRPC</b>	castrate-resistant prostate cancer (去勢抵抗性前立腺がん)	<b>IND</b>	investigational new drug (治験薬)	<b>Ph+ ALL</b>	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)		
<b>CTCL</b>	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	<b>INN</b>	international non-proprietary name (国際一般名称)	<b>PID</b>	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)		
<b>cTTP</b>	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>IT</b>	Intrathecal (髄腔内)	<b>PK</b>	pharmacokinetics (薬物動態)		
<b>DOAC</b>	direct oral anti-coagulation (直接作用型経口抗凝固薬)	<b>ITP</b>	immune thrombocytopenia (免疫性血小板減少症)	<b>PMDA</b>	Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (医薬品医療機器総合機構)		
<b>DS</b>	Dravet syndrome (ドラベ症候群)	<b>iTTP</b>	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>POC</b>	proof of concept (概念実証)		
		<b>IV</b>	intravenous (静脈投与)	<b>PRIME</b>	Priority medicines scheme by EMA (EMAによる優先審査制度)		
		<b>JAK</b>	Janus kinase (ヤヌスキナーゼ)				
		<b>LCM</b>	lifecycle management (ライフ・サイクル・マネジメント)				