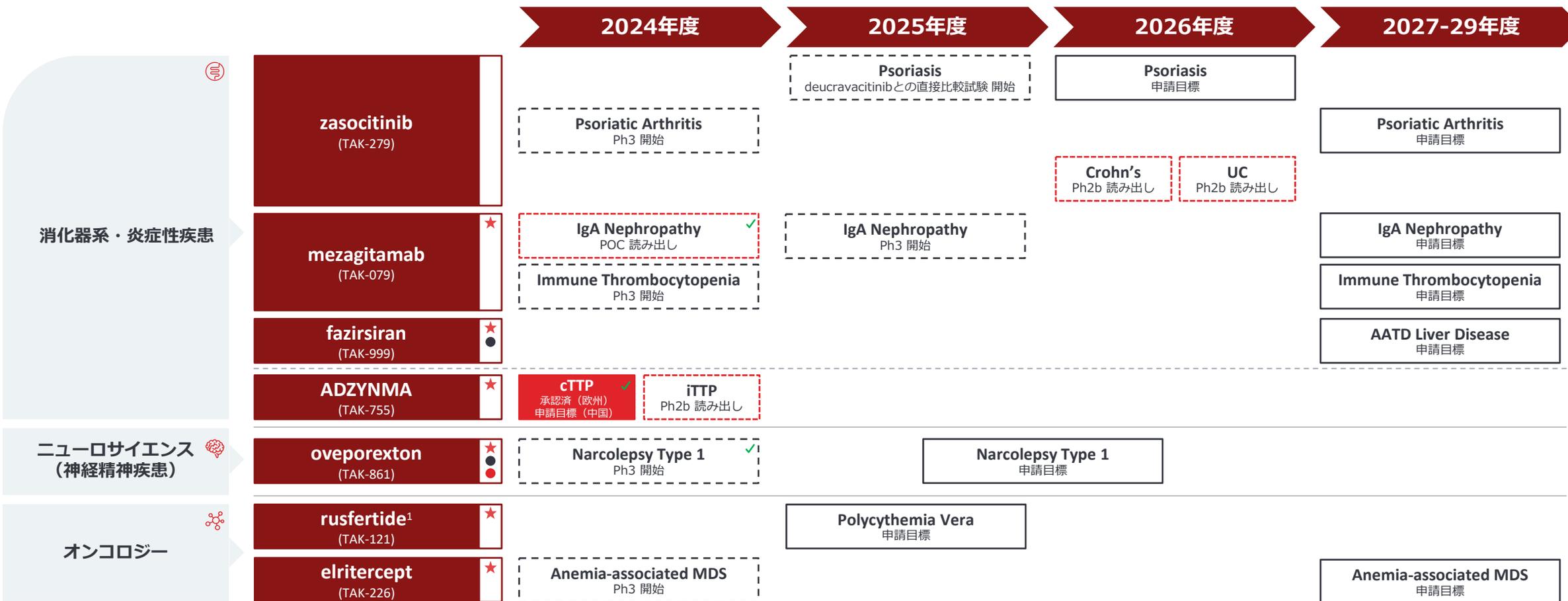


希少疾患や有病率がより高い疾患に対し、革新的な治療薬の開発を推進 後期開発プログラムが大きな価値をもたらす可能性



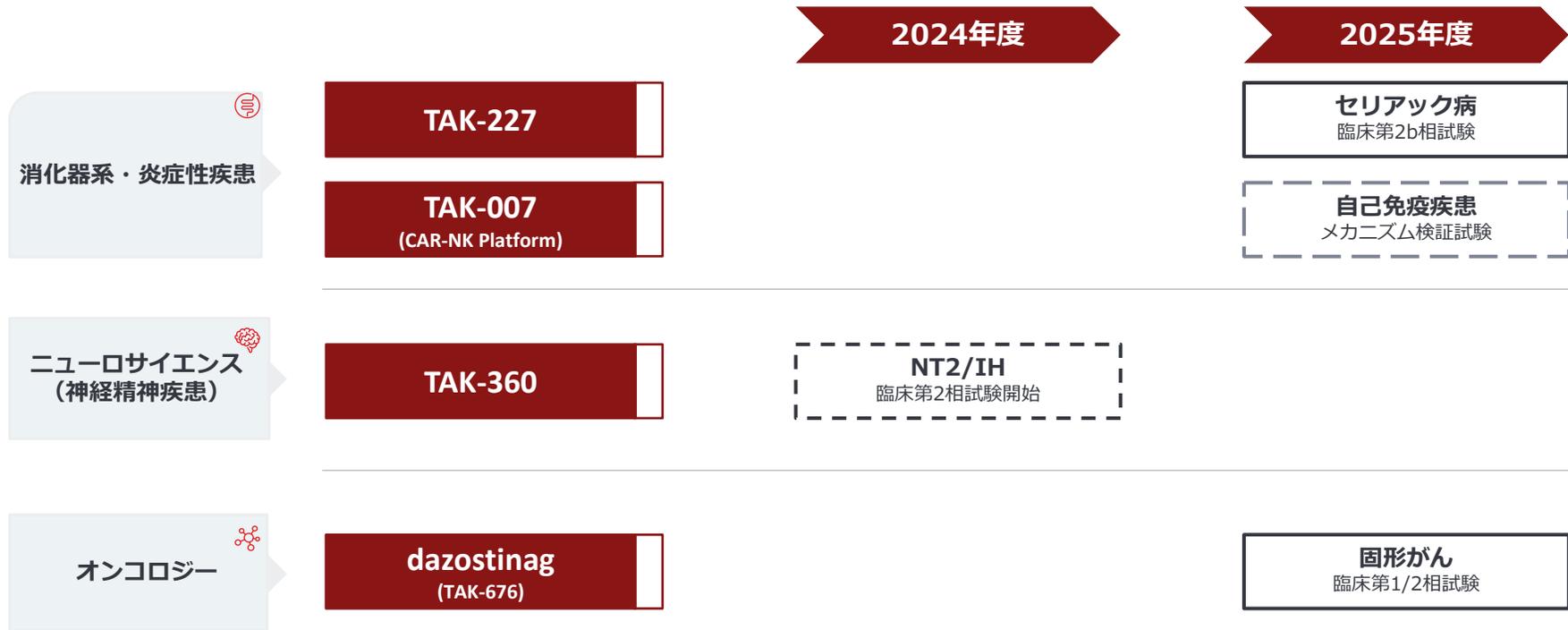
★ 少なくとも1つの適応症において、希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定
● 少なくとも1つの適応症において、ブレイクスルーセラピー指定（米国）、PRIME指定（欧州）
● 少なくとも1つの適応症において、先駆け審査指定（日本）、ブレイクスルーセラピー指定（中国）
後期開発プログラム：ピボタル試験の段階またはブルーフ・オブ・コンセプトを達成プログラム

承認
申請目標：承認申請の予想時期
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

1. 2024年度第4四半期より、rusfertideはオンコロジーポートフォリオに含まれる

全てのタイムラインは2025年1月30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。

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 サイエンスを前進させ、患者さんのアンメット・ニーズに対応することを期待



ブルー・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

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

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	maralixibat ✓ 申請済 ALGS、PFIC（日本）	ENTYVIO 申請目標 Crohn's/UC 小児（米国、欧州）
オンコロジー	ADCETRIS ✓ 申請済 FL HL BrECADD（欧州） ¹	
血漿分画製剤	HYQVIA ✓ 申請済 CIDP、MMN（日本）	
	Glovenin-I 10% 申請目標 複数の効能（日本）	
	TAK-880 ✓ 申請済 RTU IgG 低IgA（米国）	
	HyHub AVA device ✓ 申請済（米国） ²	
ワクチン	QDENG A 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 ³	

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

2. HyHub：使い捨ての改良型無菌バイアルアクセス医療デバイスで、促進型皮下注用免疫グロブリン製剤（fSCIG）のバイアルからの調製および投与を大幅に簡便化。

3. QDENG Aがベトナム（2024年5月）、イスラエル（2024年5月）、スイス（2024年7月）で承認。

承認

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

AA	anemia-associated (～に伴う貧血)
AATD	α 1-antitrypsin deficiency (α 1アンチトリプシン欠乏症)
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)
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ナーゼ)
ADC	antibody-drug conjugate (抗体薬物複合体)
ALGS	Alagille syndrome (アラジール症候群)
AVA	Advanced Vial Access
BID	bis in die (1日2回投与)
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)
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)
CP-CML	chronic-phase chronic myeloid leukemia (慢性期の慢性骨髄性白血病)
CRC	colorectal cancer (大腸がん)
CRPC	castrate-resistant prostate cancer (去勢抵抗性前立腺がん)
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 (直接経口抗凝固薬)
DS	Dravet syndrome (ドラベ症候群)
EGFR	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)
EMA	European Medicines Agency (欧州医薬品庁)
FDA	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)
fSCIG	facilitated Subcutaneous Immunoglobulin (促進型皮下注用免疫グロブリン製剤)

FY	fiscal year (年度)
GI	gastrointestinal (胃腸)
H2H	head-to-head (直接比較)
HAE	hereditary angioedema
HCP	healthcare professional (医療従事者)
HemA	hemophilia A (血友病A)
HL	Hodgkin lymphoma (ホジキンリンパ腫)
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)
IH	idiopathic hypersomnia (特発性過眠症)
IND	investigational new drug (治験薬)
INN	international non-proprietary name (国際一般名称)
ITP	immune thrombocytopenia (免疫性血小板減少症)
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)
LCM	lifecycle management (ライフ・サイクル・マネジメント)
mCRC	metastatic colorectal cancer (転移性大腸がん)
MDS	myelodysplastic syndrome (骨髄異形成症候群)
MF	myelofibrosis (骨髄線維症)
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)
NDA	new drug application (新薬承認申請)
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)
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)
PDT	plasma derived therapies (血漿分画製剤)
PFIC	progressive familial intrahepatic cholestasis (進行性家族性肝内胆汁うっ滞症)
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
PROC	platinum-resistant ovarian cancer (プラチナ製剤抵抗性卵巣がん)
PSOC	platinum-sensitive ovarian cancer (プラチナ製剤感受性卵巣がん)
PTRS	probability of technical and regulatory success (技術的および規制上の成功確率)
PV	polycythemia vera (真性多血症)
QD	quaque die (1日1回投与)
QOL	quality of life (生活の質)
RTU	ready to use (調製済み)
SC	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
SID	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
SOC	standard of care (標準治療)
TKI	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
TYK2	tyrosine kinase 2 (チロシンキナーゼ2)
UC	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
vWD	von Willebrand disease (フォン・ヴィレブランド病)
WW	worldwide (全世界)