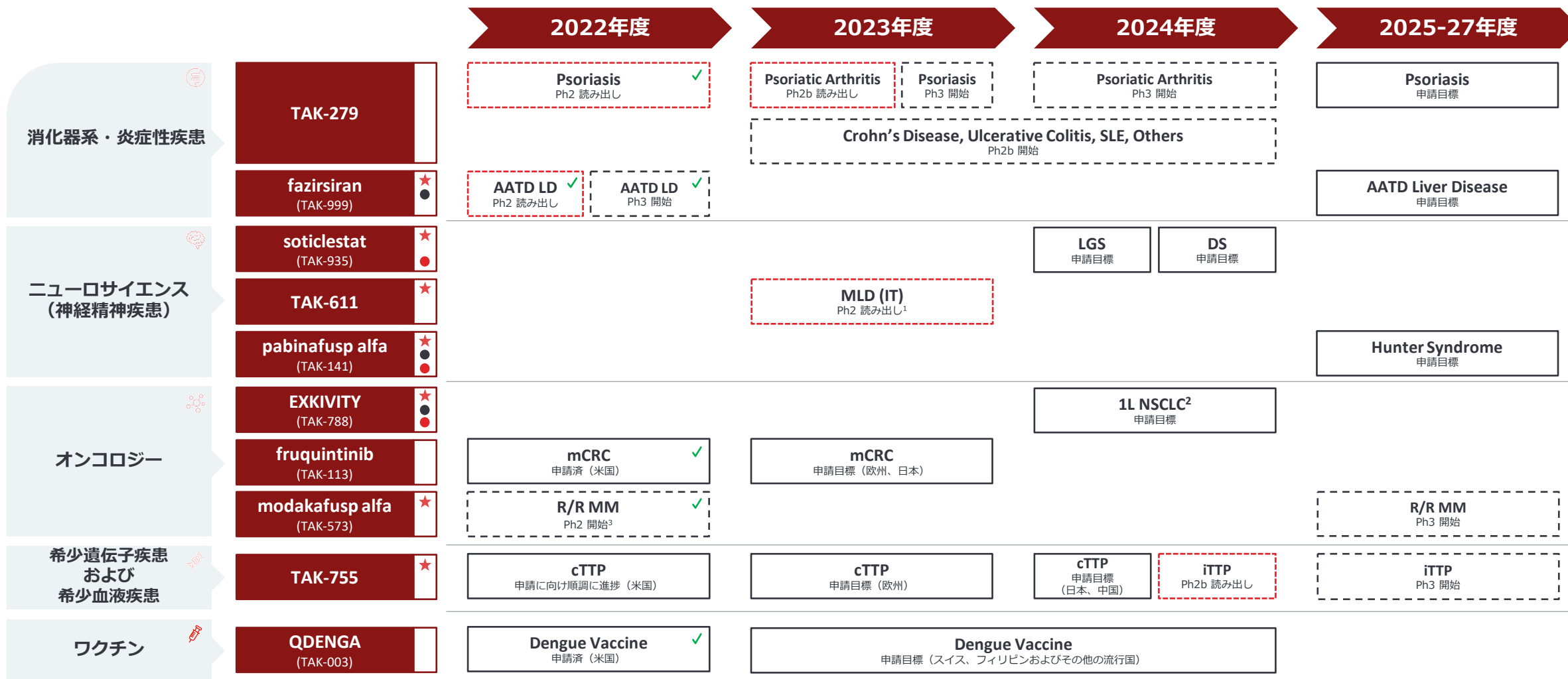


今後転換点を迎える有望な後期開発プログラム



1. 単群の臨床第2相試験。データ取得後、タイムラインおよび申請計画を策定
2. EGFRエクソン20挿入変異を有する非小細胞肺癌
3. 再発/難治性の多発性骨髄腫に対する単剤および多剤併用療法を含む臨床第1/2相試験を開始

- ★ 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：ヒト試験の段階またはブルー・オブ・コンセプトを達成プログラム

- 承認
- ブルー・オブ・コンセプト/臨床第2相試験データ読み出し
- マイルストーン達成

- 試験開始
- 申請目標：承認申請の予想時期

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



		2022年度	2023年度	2024年度	コメント
消化器系・炎症性疾患	TAK-227			セリアック病	最近追加となったプログラム：グルテンチャレンジモデルの試験で良好なデータ ¹
ニューロサイエンス (神経精神疾患)	TAK-861		ナルコレプシー Ph2b 開始 ✓	ナルコレプシー (NT1 and NT2)	事前に設定した基準を満たし、臨床第2b相試験に進展
	danavorexton (TAK-925)			麻酔後の回復 IARSで臨床第1相試験データを発表 ✓	術後麻酔モデルでの早期データをIARSで発表 2023年度に臨床第2相試験を開始予定
オンコロジー +細胞療法	subasumstat (TAK-981)			固形がん	MSS CRCにおいてPOCを達成せず 今後数年間で他の固形がんを対象とした試験のデータ読み出しを予定
	TAK-007 (CAR-NKプラットフォーム)		CD19+ 血液悪性腫瘍		Off-the-shelf (既製化) で、凍結保存製剤のCAR-NKプラットフォームの2023年度POCデータ読み出しに向け順調に進捗
希少遺伝子疾患 および 希少血液疾患	mezagitamab (TAK-079)		免疫性血小板減少性紫斑病 およびIgA腎症		ITP対象試験の中間解析は高い期待を持てる内容であり、高用量を検討中。 重症筋無力症では有効性のシグナルが見られ、ITP、IgA腎症はデータ読み出し待ち

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

1. Schuppan et al. N Engl J Med 2021;385:35-45

- 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

IARS : 国際麻酔学研究会

全てのタイムラインは2023年5月11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。疾患名の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

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



	2022年度	2023年度	2024年度
消化器系・炎症性疾患 	ENTYVIO ✓ 申請済 皮下投与製剤 UC (米国) ¹	ENTYVIO 申請目標 皮下投与製剤 CD (米国)	maralixibat 申請目標 ALGS、PFIC (日本)
オンコロジー 	ENTYVIO ✓ 申請済 皮下投与製剤 CD (日本)	ALOFISEL 申請目標 複雑痔瘻 (米国)	
希少遺伝子疾患 および 希少血液疾患 	ADCETRIS ✓ 申請済 FL HL ステージIII (欧州)	ICLUSIG 申請目標 1L Ph+ ALL (米国)	
	LIVTENCITY ✓ 申請済 R/R CMV (中国) ²	LIVTENCITY 申請目標 R/R CMV (日本) ²	
	TAKHZYRO ✓ 承認済 小児HAE (米国、欧州) ³		
血漿分画製剤 	HYQVIA ✓ 申請済 CIDP (米国、欧州)	HYQVIA 申請目標 PID (日本)	HYQVIA 申請目標 CIDP、MMN (日本)
	TAK-880 ✓ 申請済 RTU IgG低IgA (米国)	TAK-880 申請目標 RTU IgG低IgA (欧州)	
	CUVITRU ✓ 申請済 PID、SID (日本)	Gammagard Liquid 申請目標 CIDP (米国)	
ワクチン 	NUVAXOVID ✓ 承認済 (日本)		

1. 米国における潰瘍性大腸炎 (UC) に対するENTYVIO皮下投与製剤は、2019年に米国食品医薬品局 (FDA) より審査完了通知 (CRL) を受領しており、再申請となる
 2. 移植後サイトメガロウイルス (CMV) 感染/感染症
 3. TAKHZYROの小児HAEの適応症は米国において承認、欧州において申請済み

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; US: 米国

AAD	American Academy of Dermatology (米国皮膚科学会)	EMA	European Medicines Agency (欧州医薬品庁)	MG	myasthenia gravis (重症筋無力症)	POGD	post-operative gastrointestinal dysfunction (術後消化器機能障害)
AATD	α 1-antitrypsin deficiency (α 1アンチトリプシン欠乏症)	EU-M4all	EU-Medicines for all	MLD	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	PRIME	Priority medicines scheme by EMA (EMAによる優先審査制度)
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)	FDA	the U.S. Food & Drug Administration (米国食品医薬品局)	MM	multiple myeloma (多発性骨髄腫)	PTH	parathyroid hormone (副甲状腺ホルモン)
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)	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)	QD	quaque die, every day (1日1回投与)
ADHD	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	FSI	first subject in (最初の患者登録)	mNSCLC	metastatic non-small cell lung cancer (転移性非小細胞肺癌)	R/R	relapsed/refractory (再発/難治性)
ALGS	Alagille syndrome (アラジール症候群)	FY	fiscal year (年度)	MSA	multiple system atrophy (多系統萎縮症)	RTU	ready to use (調製済み)
ALK	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	GI	gastrointestinal (胃腸)	MSS	microsatellite stable (マイクロサテライト安定性)	SC	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
ALL	acute lymphocytic leukemia (急性リンパ性白血病)	GvHD	graft versus host disease (移植片対宿主病)	NASH	non-alcoholic steatohepatitis (非アルコール性脂肪肝炎)	SCD	sickle cell disease (鎌状赤血球症)
AVA	advanced vial access (改良型バイアルアクセス)	H2H	head to head (直接比較)	ND	newly diagnosed (新たに診断された)	SCPCD	severe congenital protein C deficiency (重症先天性プロテインC欠乏症)
BLA	biologics license application (生物製剤承認申請)	HAE	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	NDA	new drug application (新薬承認申請)	SCT	stem cell transplant (幹細胞移植)
BMA	bradykinin mediated angioedema (ブラジキニン介在性血管性浮腫)	HemA	hemophilia A (血友病A)	NEJM	New England Journal of Medicine	SID	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
BTD	breakthrough therapy designation (画期的新薬指定)	HL	Hodgkin's lymphoma (ホジキンリンパ腫)	NK	natural killer (ナチュラルキラー)	SLE	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
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)	HSCT	hematopoietic stem cell transplant (造血幹細胞移植)	NME	new molecular entity (新規候補物質)	SOC	standard of care (標準治療)
CD	Crohn's disease (クローン病)	IARS	International Anesthesia Research Society (国際麻酔学研究学会)	NMPA	(China's) National Medical Products Administration (中国国家薬品监督管理局)	STING	stimulator of interferon genes (インターフェロン遺伝子刺激因子)
CHMP	Committee for Medicinal Products for Human Use (欧州医薬品委員会)	IBD	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	NSCLC	non-small cell lung cancer (非小細胞肺癌)	SUMO	small ubiquitin-related modifier (低分子ユビキチン様修飾因子)
CIDP	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髄性多発根神経炎)	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)	TCE	T-cell engager (T細胞誘導療法)
CML	chronic myeloid leukemia (慢性骨髄性白血病)	IgAN	immunoglobulin A nephropathy (IgA腎症)	ORR	overall response rate (全奏効率)	TEAE	treatment emergent adverse event (試験治療下での有害事象)
CMV	cytomegalovirus (サイトメガロウイルス)	IgG	immunoglobulin G (免疫グロブリンG)	PASI	psoriasis area and severity index (乾癬の重症度を表す指標)	TKI	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
CPF	complex perianal fistulas (複雑痔瘻)	IND	investigational new drug (治験薬)	PCD	protein C deficiency (プロテインC欠乏症・異常症)	TREM2	triggering receptor expressed on myeloid cells 2
CRC	colorectal cancer (大腸がん)	ITP	immune thrombocytopenic purpura (免疫性血小板減少性紫斑病)	PEX	plasma exchange (血漿交換)	TTP	thrombotic thrombocytopenic purpura (血栓性血小板減少性紫斑病)
CRL	complete response letter (審査完了報告通知)	iTTP	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	PFIC	progressive familial intrahepatic cholestasis (進行性家族性肝内胆汁うっ滞症)	TYK2	tyrosine kinase 2 (チロシンキナーゼ2)
CRPC	castrate-resistant prostate cancer (去勢抵抗性前立腺がん)	JAK	Janus kinase (ヤヌスキナーゼ)	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)	UC	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
CTCL	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	IV	intravenous (静脈投与)	PID	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)	VEGFR	vascular endothelial growth factor receptors (血管内皮増殖因子受容体)
cTTP	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性血栓性血小板減少性紫斑病)	iPSC	induced pluripotent stem cells (人工多能性幹細胞)	PK	pharmacokinetics (薬物動態)	vWD	von Willebrand disease (フォン・ウィレブランド病)
DOAC	direct oral anti-coagulation (直接作用型経口抗凝固薬)	LCM	lifecycle management (ライフ・サイクル・マネジメント)	PMDA	Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (医薬品医療機器総合機構)	vWF	von Willebrand factor (フォン・ウィレブランド因子)
DS	Dravet syndrome (ドラベ症候群)	LD	liver disease (肝疾患)	POC	proof of concept (概念実証)	WW	Worldwide (全世界)
EGFR	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	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)				