

WAVE 1パイプライン市場機会に関するコール



2020年12月9日（日本時間）／2020年12月8日（東部時間）

武田薬品工業株式会社

Better Health, Brighter Future

重要な注意事項



本注意事項において、「プレゼンテーション（presentation）」とは、本プレゼンテーションにおいて武田薬品工業株式会社（以下、「武田薬品」）によって説明又は配布された本書類、口頭のプレゼンテーション、質疑応答及び書面又は口頭の資料を意味します。本プレゼンテーション（それに関する口頭の説明及び質疑応答を含みます）は、いかなる法域においても、いかなる有価証券の購入、取得、申込み、交換、売却その他の処分の提案、案内若しくは勧誘又はいかなる投票若しくは承認の勧誘のいずれの一部を構成、表明又は形成するものではなく、またこれを行うことを意図しておりません。本プレゼンテーションにより株式又は有価証券の募集を公に行うものではありません。米国1933年証券法に基づく登録又は登録免除の要件に従い行うものを除き、米国において有価証券の募集は行われません。本プレゼンテーションは、（投資、取得、処分その他の取引の検討のためではなく）情報提供のみを目的として受領者により使用されるという条件の下で（受領者に対して提供される追加情報と共に）提供されております。当該制限を遵守しなかった場合には、適用のある証券法違反となる可能性がございます。

武田薬品が直接的に、又は間接的に投資している会社になります。本プレゼンテーションにおいて、「武田薬品」という用語は、武田薬品及びその子会社全般を参照するものとして便宜上使われていることがあります。同様に、「当社（we, us及びour）」という用語は、子会社全般又はそこで勤務する者を参照していることもあります。これらの用語は、特定の会社を明らかにすることが有益な目的を与えない場合に用いられることもあります。

将来に関する見通し情報

本プレゼンテーション及び本プレゼンテーションに関して配布された資料には、武田薬品の見積もり、予測、目標及び計画を含む当社の将来の事業、将来のポジション及び業績に関する将来見通し情報、理念又は見解が含まれています。将来見通し情報は、「目標にする（targets）」、「計画する（plans）」、「信じる（believes）」、「望む（hopes）」、「継続する（continues）」、「期待する（expects）」、「めざす（aims）」、「意図する（intends）」、「確実にする（ensures）」、「だろう（will）」、「かもしれない（may）」、「すべきであろう（should）」、「であろう（would）」、「することができた（could）」、「予想される（anticipates）」、「見込む（estimates）」、「予想する（projects）」などの用語若しくは同様の表現又はそれらの否定表現を含むことが多いですが、それに限られるものではございません。これら将来見通し情報は、多くの重要な要因に関する前提に基づいており、実際の業績は、将来見通し情報において明示又は暗示された将来の業績とは大きく異なる可能性があります。その重要な要因には、日本及び米国的一般的な経済条件を含む当社のグローバルな事業を取り巻く経済状況、競合製品の出現と開発、関連法規の変更、製品開発計画の成功又は失敗、規制当局による判断とその時期、金利及び為替の変動、市場で販売された製品又は候補製品の安全性又は有効性に関するクレーム又は懸念等、新規コロナウイルス・パンデミックのような健康危機が、当社が事業を行なう国の政府を含む当社とその顧客及び供給業者に及ぼす影響、買収対象企業とのPMI（買収後の統合活動）の時期及び影響、武田薬品の事業にとってのノン・コア資産を売却する能力及びかかる資産売却のタイミング、当社のウェブサイト(<https://www.takeda.com/investors/reports/sec-filings/>)又はwww.sec.govにおいて閲覧可能な米国証券取引委員会に提出したForm 20-Fによる最新の年次報告書及び当社の他の報告書において特定されたその他の要因が含まれます。武田薬品は、法律や証券取引所の規則により要請される場合を除き、本プレゼンテーションに含まれる、又は当社が提示するいかなる将来見通し情報を更新する義務を負うものではありません。過去の実績は将来の経営結果の指針とはならず、また、本プレゼンテーションにおける武田薬品の経営結果は武田薬品の将来の経営結果又はその公表を示すものではなく、その予測、予想、保証又は見積もりではありません。

国際会計基準に準拠しない財務指標

本プレゼンテーションには、実質的な売上収益、Core営業利益、実質的なCore営業利益、Core純利益、実質的なCore EPS、有利子純負債、EBITDA、調整後EBITDA、フリー・キャッシュ・フローのように、IFRSに準拠しない財務指標が含まれています。当社役員は業績評価並びに経営及び投資判断を、IFRS及び本プレゼンテーションに含まれるIFRS以外の指標に基づいています。IFRSに準拠しない財務指標においては、最も近いIFRS財務指標では含まれることとなる、又は異なる数値となる一定の利益、コスト及びキャッシュ・フロー項目を除外しております。IFRSに準拠しない財務指標を提供することで、当社役員は、投資家の皆様に対し、当社の経営状況、主要な業績及び動向の更なる分析のための付加的な情報を提供したいと考えております。IFRSに準拠しない財務指標は、IFRSに準拠するものではなく、付加的なものであり、また、IFRSに準拠する財務指標に代替するものではありません（IFRSに準拠する財務指標を「財務ベース」指標として参照している場合があります）。投資家の皆様におかれましては、IFRSに準拠しない財務指標につき、本プレゼンテーションのスライド158-159に記載した、これらに最も良く対応するIFRS準拠財務指標との照合を行っていただけますようお願い申し上げます。

医療情報

本プレゼンテーションには、製品についての情報が含まれておりますが、それらの製品は、すべての国で発売されているものではありませんし、また国によって異なる商標、効能、用量等で販売されている場合もあります。ここに記載されている情報は、開発品を含むいかなる医療用医薬品の効能を勧誘、宣伝又は広告するものではありません。

財務情報

当社の財務諸表は、IFRSに基づき作成しております。

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーション プレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
<hr/> 付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要		

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
<hr/> 付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要		

バリュー（価値観）に基づいた、グローバルな 研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー



PURPOSE

Better health for people, brighter future for the world

VISION

Discover and deliver life-transforming treatments, guided by our commitment to patients, our people and the planet

VALUES

We are guided by our values of Takeda-ism which incorporate **Integrity**, **Fairness**, **Honesty**, and **Perseverance**, with Integrity at the core. They are brought to life through actions based on **Patient-Trust-Reputation-Business**, in that order

IMPERATIVES

PATIENT

- Responsibly translate science into highly innovative, life-changing medicines and vaccines

- Accelerate access to improve lives worldwide

PEOPLE

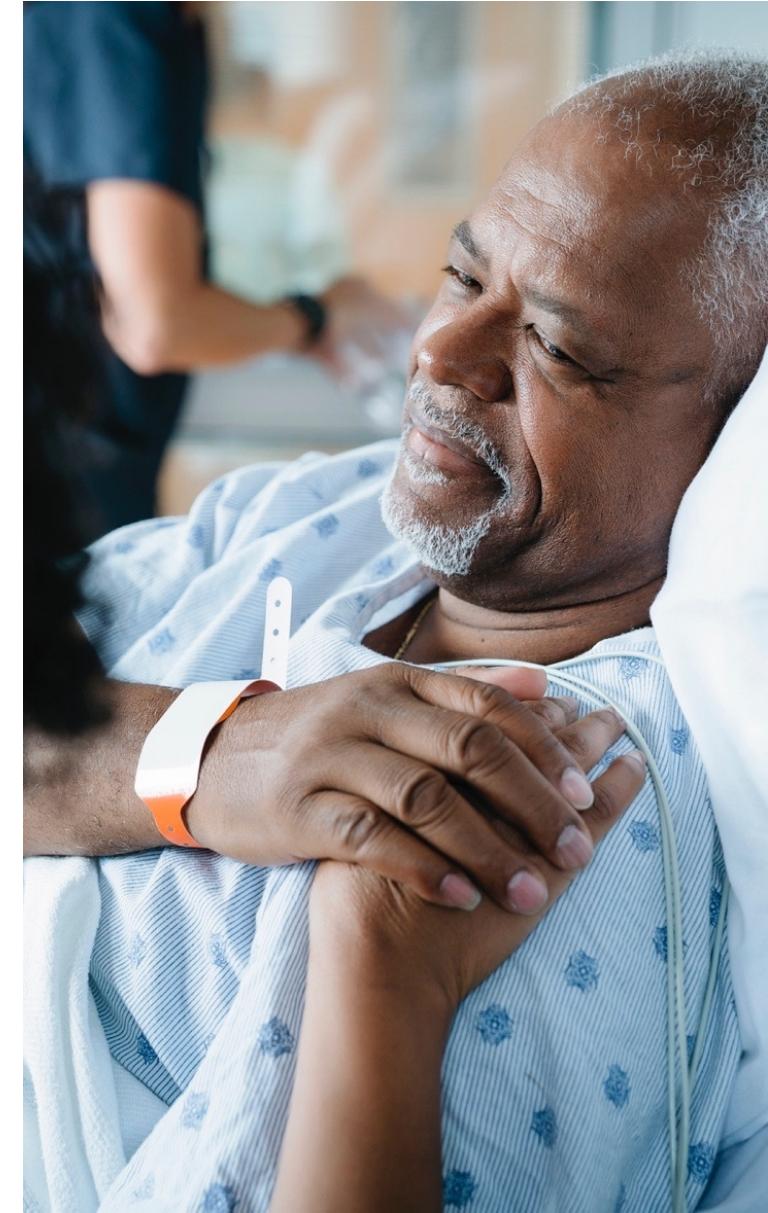
- Create an exceptional people experience

PLANET

- Protect our planet

UNLEASH THE POWER OF DATA AND DIGITAL

- We strive to transform Takeda into the most trusted, data-driven, outcomes-based biopharmaceutical company



世界トップ¹10の研究開発型バイオ医薬品企業への変革



戦略的進化

2014年

グローバル化

研究開発体制の変革

2014年度

グローバルで
トップ20

売上収益
1兆7,778億円

実質的なCore営業利益¹率
17%

One Takeda

現在

バリュー（価値観）に基づく、
グローバルな研究開発型の
バイオ医薬品企業
5つの主要なビジネスエリア、
14のグローバルブランド
12のWave 1パイプライン

2020年度予想

グローバルで
トップ10

財務ベース
売上収益予想
3兆2,000億円

実質的なCore営業利益¹率
30%台前半

成長の加速と
患者さんへのインパクト

今後10年

サイエンスにより
生活を一変させる治療薬を創出

ウェーブ1とウェーブ2の
パイプライン成長機会

長期

グローバルでの
患者さんへのインパクト
成長の加速

売上収益目標

2030年度までに5兆円²

1. 実質的なCore営業利益率の定義は157ページを、調整表は158-159ページを参照ください。2. PTS (Probability of Technical Success、技術的成功確率) 調整前ベースの増分を含みます（すなわち、当社が現時点では発生する可能性が低いと考えている技術的成功を含むベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標値と解釈されるべきではありません）。武田の発売済み製品およびパイプラインによる将来の実際の売上収益は異なる可能性があり、場合によっては大幅に異なる可能性があります。これは、臨床開発の結果が、安全性、有効性および製品の添付文書など多くの変数によって大幅に変わる可能性があるためです。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。さらに、製品が承認された場合の患者さん集団、競争環境、価格設定および保険償還などの商業上の要因の影響も不明です。スライド8に示したように、ベースケース（達成可能性があると考えている技術的マイルストーンに基づいて推定した売上収益）は、2019年度のベースラインと比較して1桁台前半の売上収益成長を見込んでいます。2019年度期初為替想定が2030年度売上収益に適用されています。

14のグローバルブランドによる大きな成長で、 2024年度までに80億米ドル以上の売上収益上乗せの機会



	2019年度売上収益		従来のピーク時 売上収益想定	新しいピーク時 売上収益想定 ³
	(百万米ドル) ²	対前年(実質的)		
Entyvio vedolizumab	3,189	+32.9%	40 – 50億米ドル	55 – 65億米ドル
Gattex (teplizumab [rDNA origin] for injection)	568	+21.7%	N/A	7 – 8億米ドル
ALOFISEL	3	N/A	N/A	5 – 8億米ドル
TAKHZYRO (lanadelumab-fyo) injection	627	+318%	N/A	18 – 22億米ドル
NINLARO (ixazomib capsules)	712	+28.5%	15 – 20億米ドル	15 – 20億米ドル
ALUNBRIG BRIGATINIB 30mg TABLETS	66	+43.1%	10億米ドル	8 – 10億米ドル
長期見通し				
IMMUNOGLOBULIN	2,744	+7.2%	今後10年間に渡って“1桁台後半の年平均成長率”	
ALBUMIN/FLEXBUMIN ¹	617	+20.3%	今後10年間に渡って“1桁台半ばの年平均成長率”	
14グローバルブランド合計	10,152	+21.7%		

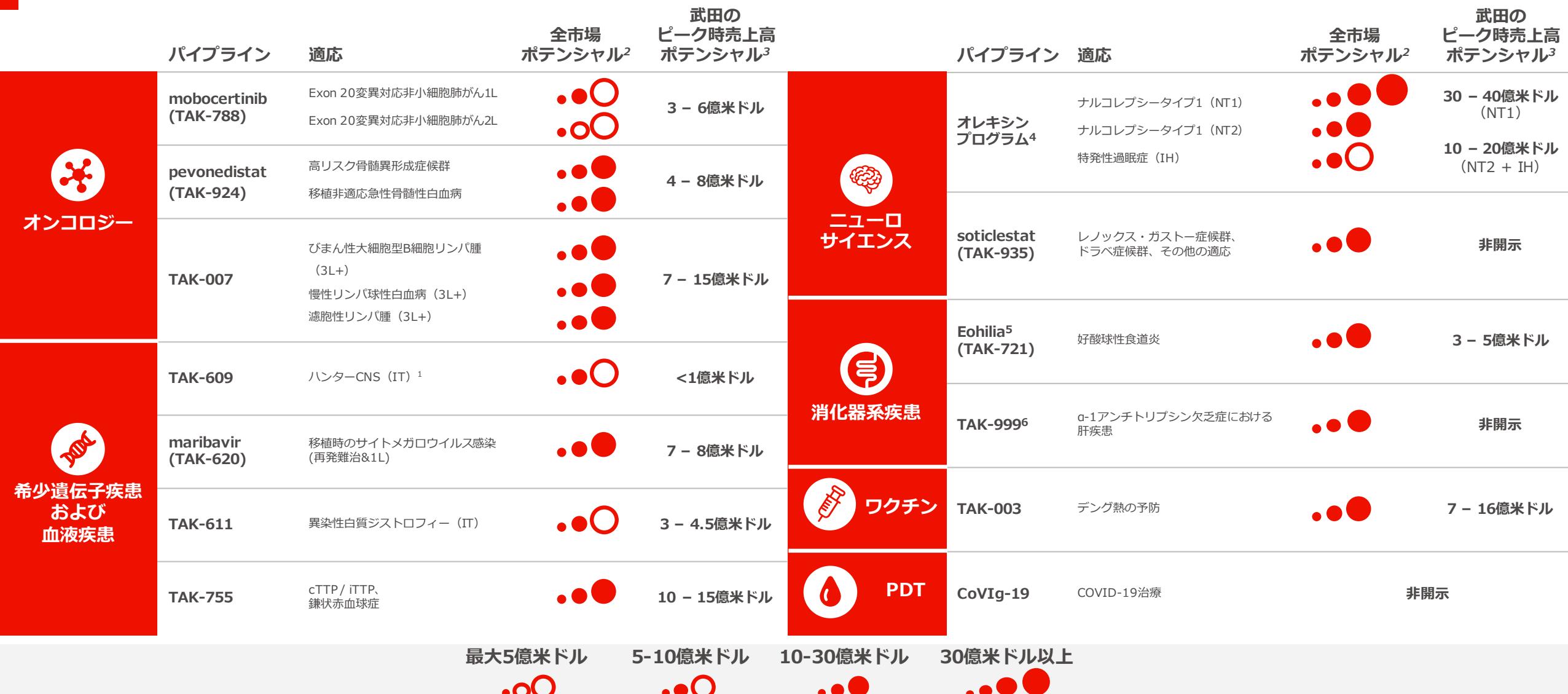
1. Albumin Glass、Flexbuminおよび献血アルブミンを含みます。

2. 米ドルでの表記は1米ドル107円で換算した参考値です。

3. 新しいピーク時売上収益想定は、開発リスクと規制リスクを調整したベースケースのシナリオと、そのような調整を行わないベストケースのシナリオの組み合わせに基づいています。

注：売上収益の絶対値は国際会計基準（IFRS）ベースの数字（財務ベース）、対前年比は実質的な成長率です。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

大きな市場機会を有するWAVE 1パイプライン



1. ムコ多糖症2型市場の合計（全身性+中枢性）

2. 市場ポテンシャルは利用可能なデータに基づく、アドレス可能な市場サイズに関する武田の最良の予想を示します。

3. PTS（技術的な成功確率）調整前の数値は、現時点では発生する可能性が高いとは考えていない技術的な成功を含むベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標値と解釈されるべきではありません。

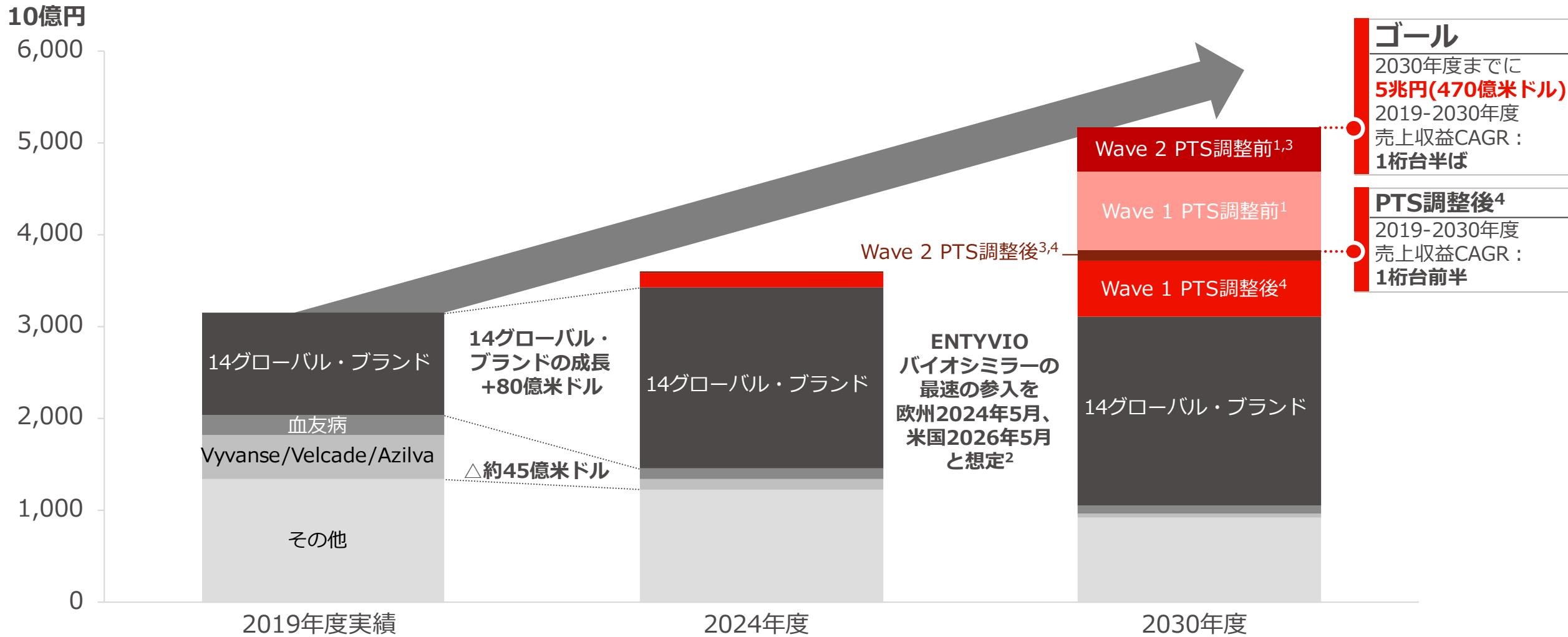
4. ナルコレプシータイプ1、ナルコレプシータイプ2、特発性過眠症以外のその他の希少適応は算出に含まれていません。

5. EohiliaはTAK-721のブランド名の案です。TAK-721は治験薬であり、FDAまたはその他の規制当局による使用は承認されていません。フル市場ポтенシャルは全てがブランド品に置き換わった場合の市場規模を示しています。

6. TAK-999は開発が加速しWave 1になる可能性があります。

注：U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

自律的かつ持続的な売上収益成長へ向けたポジション、 2030年度売上収益5兆円（470億米ドル）をゴールと設定¹



1. PTS (Probability of Technical Success, 技術的成功確率) を調整しない場合の売上収益増分を示しています。即ち、当該数値は現時点では発生する可能性が高いとは考えていない技術的な成功を含む、ベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標とする数値と解釈されるべきではありません。2. 本グラフでは、各地域のデータ保護期間による独占期間満了時期に基づき、欧州では2024年5月、米国では2026年5月にENTYVIOのバイオシミラーが参入すると想定しています。当社は2032年に満了するENTYVIOに関する特許を保有し、バイオシミラーの正確な参入時期について現時点では不確実性があります。3. 本グラフでは、第2相臨床開発段階にあるか、または早期投資が広範囲に行われている8つのWave 2プログラム (TAK-906, TAK-954, TAK-951, TAK-062, TAK-101, TAK-573, TAK-676, TAK-981) のみを含みます。仮にすべてのWave 2プログラムを対象とした場合、潜在的な売上収益貢献度は高くなる可能性があります。4. PTS調整後の数値は武田のベースケース、すなわち武田が発生する可能性が高いと考える技術的マイルストーンの達成に基づく売上収益予想を示します。

8 | 注：上記のチャートは、武田の2024年度・2030年度の売上収益の概念的な変化を示したものであり、独占販売権の消失による減収を補いつつ、2019年度実績と比較して1桁台の成長を達成する見込みを示しています。武田の発売済み製品およびパイプラインによる将来の実際の売上収益は異なる可能性があり、場合によっては大幅に異なる可能性があります。これは、臨床開発の結果が、安全性、有効性および製品の添付文書など多くの要因によって大幅に変わることがあります。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。さらに、製品が承認された場合の患者さん集団、競争環境、価格設定および保険償還などの商業上の要因の影響も不明です。2019年度期初為替想定が2024年度・2030年度売上収益に適用されています。CAGR : 年平均成長率

本日のスピーカー



クリストフ・
ウェバー
代表取締役社長 CEO



アンディー・プランク
リサーチ&デベロップメント
プレジデント



ラモナ・セケイラ
US ビジネスユニット
プレジデント &
グローバルポートフォリオ
コマーシャライゼーション
プレジデント



マイク・ニーダム
グローバルプロダクト&
ローンチストラテジー
TAK-721グローバル
プログラムリード



ラジーヴ・
ヴェンカヤ
グローバルワクチン
ビジネスユニット
プレジデント

Q&A対応者



コスタ・
サルウコス
チーフ フィナンシャル
オフィサー



テレサ・ビテッティ
グローバル オンコロジー
ビジネスユニット
プレジデント

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



革新的な医薬品を患者さんに届ける
我々のコミットメントを追求
厳選されたウェーブ1プログラムに注目

アンディー・プランプ
リサーチ&デベロップメント、プレジデント



Better Health, Brighter Future

研究開発のフォーカス

革新的なバイオファーマ



オンコロジー



希少遺伝子疾患
および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン



細胞療法



遺伝子治療



データサイエンス

革新的なパイプライン

- **12のウェーブ1新規候補物質**
5プログラムがBTD、3プログラムがFTD、1プログラムが先駆け審査指定
- **約30のウェーブ2
新規候補物質**

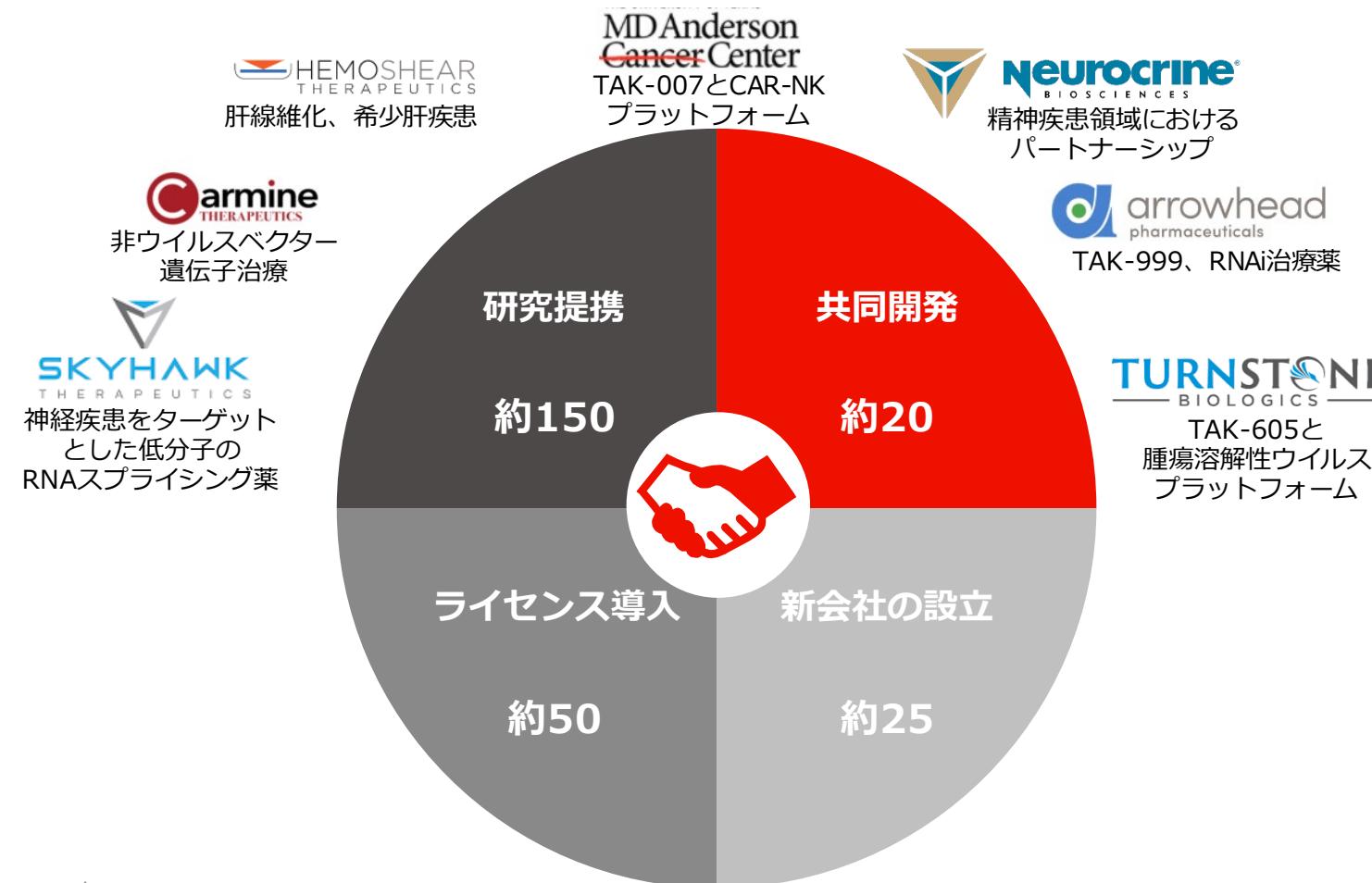
力強いパートナーシップモデル

- 当社研究所は、由来の内外を問わず、イノベーションにアクセスできるデザイン
- 持続可能な将来のために新規メカニズムと能力に投資

世界水準の当社研究所とパートナーのネットワークを融合することによりイノベーションへアクセス



2019年度と2020年度における 厳選された新規提携



- ・イノベーションへのアクセス
- ・リスクの共有
- ・キャパシティの拡大

2019年度・2020年度
一時金投資額
約10億米ドル

新たなデータに基づいた力強いパイプラインのモメンタム



WAVE 1¹

WAVE 2²

臨床段階の新規候補物 (NMEs)

承認目標	2020年度	2021年度	2022年度	2023年度	2024年度	2025/2026年度	2027年度以降		
オンコロジー		mobocertinib 2L NSCLC with EGFR exon 20 insertion mutation ³	pevoneditat HR-MDS	mobocertinib 1L NSCLC with EGFR exon 20 insertion mutation	pevoneditat Unfit AML	TAK-981 Multiple cancers	mobocertinib HER2 mutant NSCLC	TAK-252 Solid tumors	TAK-102 Multiple cancers
希少遺伝子疾患および血液疾患		maribavir R/R CMV infect. in transplant	maribavir 1L CMV infect. in HSCT	TAK-611 MLD (IT)	TAK-007 CD19+ hematologic malignancies	TAK-755 iTPP, SCD	mezagitimab MG, ITP	TAK-169 R/R MM	TAK-676 Solid tumors
ニューロサイエンス				soticlestat DEE	Orexin2R-ag (TAK-925/994) Narcolepsy T1	Orexin2R-ag Sleep Disorders		TAK-341 Parkinson's Disease	
消化器系疾患		TAK-721⁴ EoE				TAK-062 Celiac Disease	TAK-101 Celiac Disease	sibofimloc Crohn's Disease (post-op and ileitis)	TAK-671 Acute Pancreatitis
ワクチン			TAK-003 Dengue Vaccine			TAK-999⁵ AAT Liver Disease	TAK-951 Nausea & vomiting	TAK-906 Gastroparesis	TAK-831 CIAS NS
血漿分画製剤	CovIg-19 COVID-19 H-IG (旧TAK-888)				TAK-426 Zika Vaccine			TAK-954 POGD	TAK-214 Norovirus Vaccine
● 少なくとも 1 つの適応症で 希少疾患用医薬品の可能性						● ブレークスルーセラピー/ ファストトラック指定	● 中国ブレークスルーセラピー指定	■ Wave 1イベントパート1	

1. 承認日の予想はデータ読み出しに影響されます。ウェーブ1の一部の承認目標日は迅速承認を想定します

14 | 2. ウエーブ2の一部は、取得データによりウェーブ1に加速される可能性もあります

3. 臨床第2相試験データでの申請を想定した承認予想時期です

4. 2020年度第4四半期または2021年度第1四半期の早期の承認の見込みです

5. 導入契約が完了する前提です

全てのタイムラインは2020年12月8日時点におけるおおよその予測です。

疾患名の略語用語集は付録をご参照下さい。

全てのウェーブ1品目は直近に主要マイルストンを有する



開発ステージ	プログラム	適応症	次のマイルストン	予定されるタイミング
規制上のマイルストン (申請・承認)	TAK-721	好酸球性食道炎	承認	2020年度Q4 ¹
	TAK-003	デング熱の予防	申請	2020年度Q4
	TAK-609	ハンター症候群（中枢性）	申請	2020年度Q4
	mobocertinib	エクソン20挿入変異を有する非小細胞肺がん（2L）	申請	2020年度Q4
ピボタルデータ読み出し	maribavir	移植後のサイトメガロウイルス感染症	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q3
	CoV Ig-19	COVID-19治療	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q4
	pevonedistat	高リスク骨髄異形成症候群	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q4
	TAK-755	先天性血栓性血小板減少性紫斑病	臨床第3相試験データ読み出し	2022年度H1
ピボタル試験開始	TAK-611	異染性白質ジストロフィー	臨床第2相試験 ² データ読み出し	2022年度H2
	soticlestat	発達性およびてんかん性脳症	臨床第3相試験開始	2021年度Q1
	TAK-007	CD19陽性 血液がん	臨床第2相試験 ² 開始	2021年度H1
	TAK-994	ナルコレプシー	臨床第3相試験開始	2021年度H2

15 | 1. 2020年度Q4または2021年度Q1の早期に承認の見込みです。
2. ピボタル試験の可能性があります。

今日は、ウェーブ1パイプラインの臨床データと市場性を関連付けた初めてのIRイベント



本日のイベント

パート1

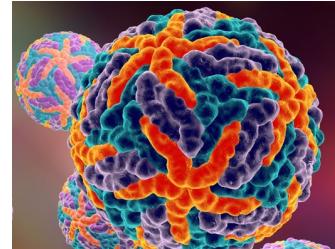
ウェーブ1市場機会
投資家イベント

TAK-721



好酸球性食道炎に対する
米国での承認申請

TAK-003



流行地域における
デング熱ワクチンの
承認申請



Wave 1 パイプライン



開発状況

市場性

補足資料

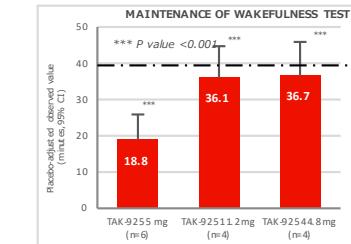


2021年4月6日¹

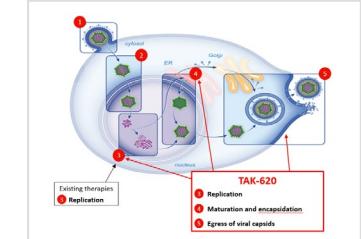
パート2

ウェーブ1市場機会
投資家イベント

オレキシンアゴニスト

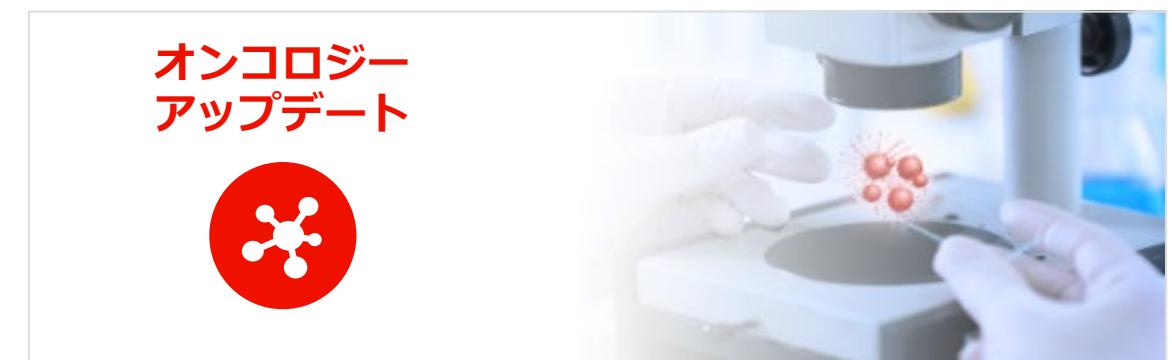


TAK-994（経口）・TAK-925（静注）
ナルコレプシータイプ1および
その他の睡眠障害を対象とする
オレキシンアゴニスト



移植後の治療抵抗性/難治性
サイトメガロウイルス感染（2L）
米国承認申請

オンコロジー
アップデート



本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



ENTRYVIOケーススタディ： 患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築



ラモナ・セケイラ

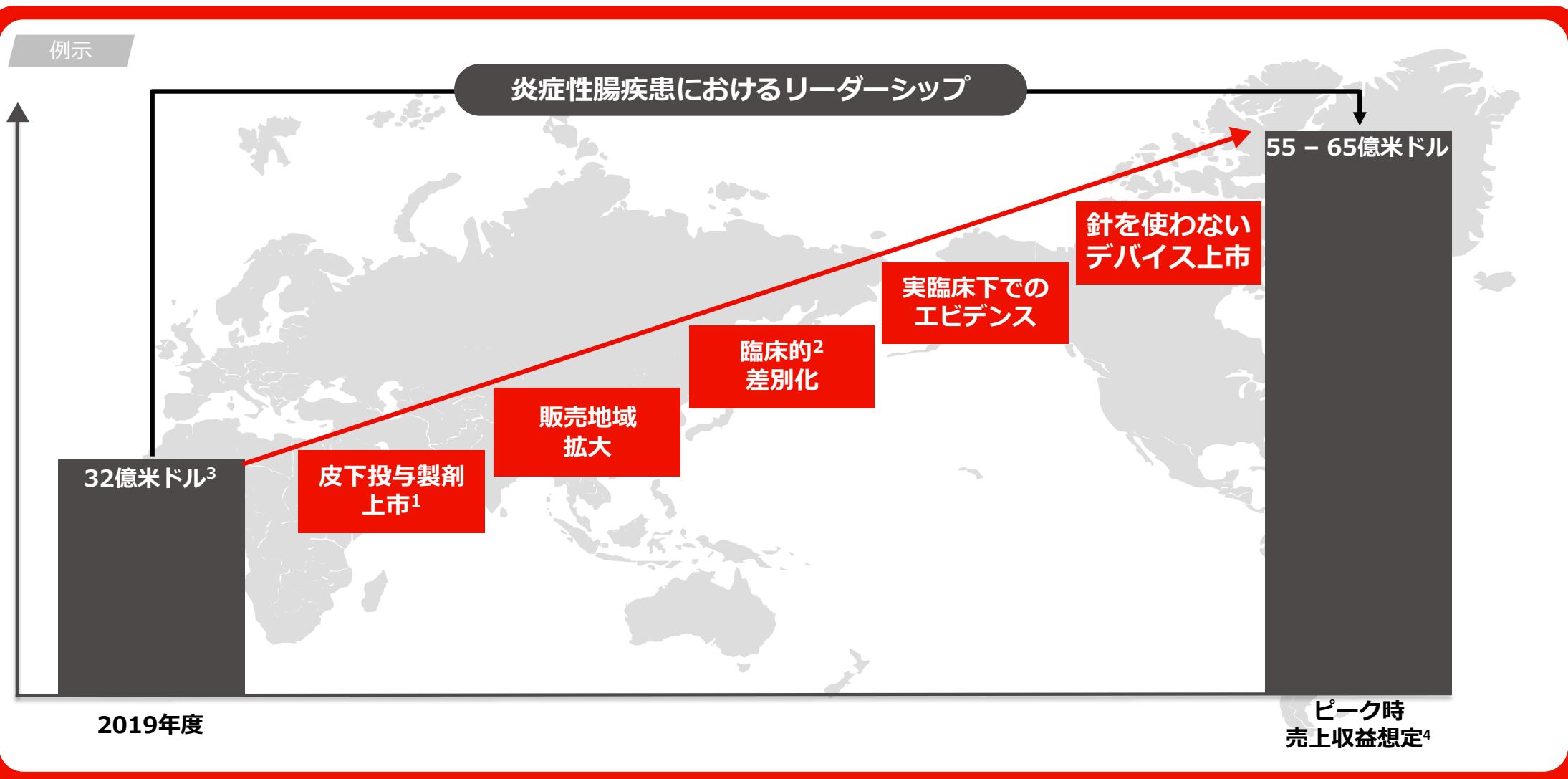
USビジネスユニット プレジデント &
グローバル ポートフォリオ コマーシャライゼーション プレジデント

Better Health, Brighter Future

ENTYVIO：炎症性腸疾患治療剤の標準治療



例示



1. 各国の規制当局の承認によります。

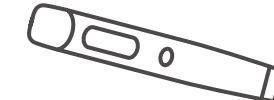
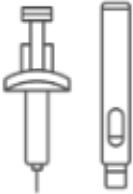
2. 中等度から重症の活動性潰瘍性大腸炎患者さんを対象とした、ENTYVIOとadalimumabの臨床寛解率を比較した直接比較試験に基づきます。

3. 米ドルでの表記は1米ドル107円で換算した参考値

4. PTS調整後の数値は武田のベースケース、すなわち武田が発生する可能性が高いと考える技術的マイルストーンの達成に基づく売上収益予想を示します。

注 : U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

ENTYVIOの潜在的 possibility を最大化するためのグローバルで 多面的な成長戦略



皮下投与製剤 上市¹

- 炎症性腸疾患患者さんのニーズに応える
- 皮下投与か静脈注射かの選択肢は、最適な投与経路 (RoA) を選んで頂くための柔軟性を提供
- VISIBLE**試験

販売地域拡大 例：中国

- 武田は中国の炎症性腸疾患市場の発展に投資
- 中国でピーク時に約6.7万人の患者さんにENTYVIOを投与頂くという潜在的な機会を捉える
- 2030年度にクロール病で36%、潰瘍性大腸炎で49%のピーク時における中国市場シェア

臨床的差別化

- VARSITY²試験
- 移植片対宿主病 (GvHD)
- 回腸囊炎
- 小児臨床第3相試験プログラム
- 長期安全性 (PASS試験)
- Explorer試験 (クロール病自然経過)
- Verdict試験 (潰瘍性大腸炎 T2T³)

実臨床下での エビデンス

- Victory試験
- Evolve試験
- Versify試験

針を使わない デバイス上市 (2023年発売予定)

- Portal Instruments社とのパートナーシップによる、ENTYVIO独占的かつ炎症性腸疾患製品では初のジェットインジェクター（針を使わない）技術を搭載

1. 各国の規制当局の承認によります
2. 中等度から重症の活動性潰瘍性大腸炎患者さんを対象とした、ENTYVIOとadalimumabの臨床寛解率を比較した直接比較試験に基づきます
3. T2T : Target-to-treat (目標達成に向けた治療)。

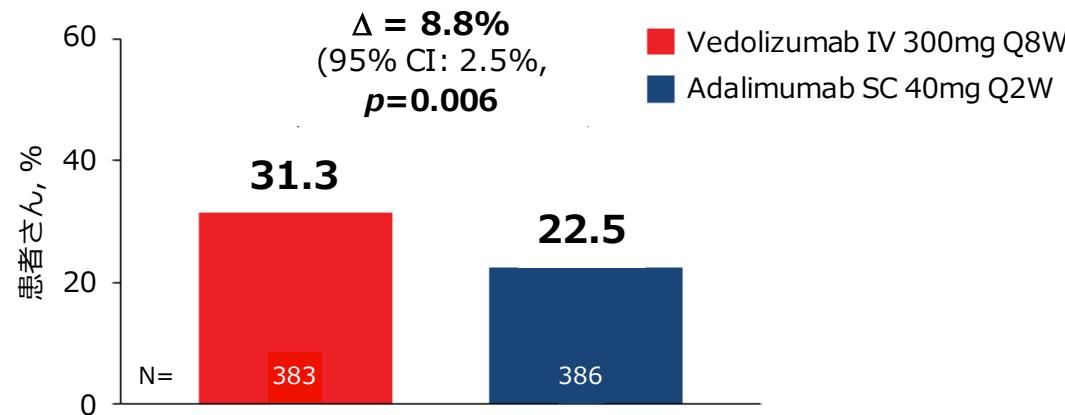


競争力のあるポジショニング

VARSITY：炎症性腸疾患（クローン病）における初の直接比較臨床試験

- 主要評価項目である52週目の寛解において、ベドリズマブはアダリムマブよりも優れていた

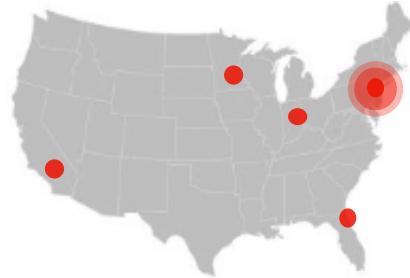
臨床的寛解 (主要評価項目)



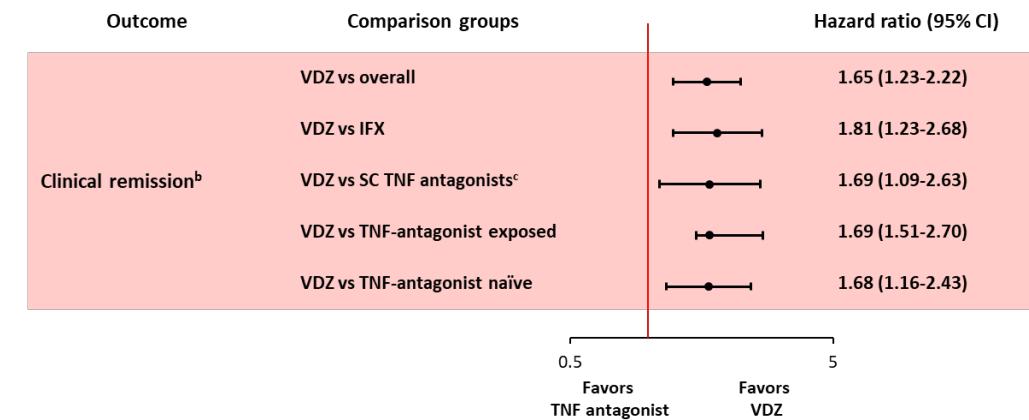
実臨床下でのエビデンス

VICTORY：1,000人以上のベドリズマブでの治療を受けた潰瘍性大腸炎またはクローン病の患者さんを含む最大の実臨床下でのデータ

- 日常診療での潰瘍性大腸炎の治療において、ベドリズマブは抗TNFa抗体製剤より高い寛解率



ベドリズマブとTNF-アンタゴニスト治療の相対有効性 (IPW ATE match set)





武田のパイプラインに命を吹きこむ

人生を変えうる治療剤をお届けするためのグローバルな機能

卓越した上市



患者さんの
治療経過と
診断



データ、
インサイト
と分析



患者さん
向け
サービス



価値に
基づく
パートナー
シップ



デジタル



エビデンス
生成

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



TAK-721 Deep Dive : 好酸球性食道炎を適応症とした 初のFDA承認治療薬となる可能性



マイク・ニーダム

グローバルプロダクト&ローンチストラテジー
TAK-721 グローバルプログラマリード

Better Health, Brighter Future

KEY TAKEAWAYS:

EoE (Eosinophilic Esophagitis; 好酸球性食道炎) とTAK-721



1

EoEにおける高い アンメットニーズ、 求められるリーダーシップ

- QoLに影響を及ぼし、長期的な線維化につながる可能性のある慢性炎症性疾患
- 罹患者数および有病者数が増加しており、FDAにより承認された治療薬はない

2

TAK-721はEoEに対して 特異的にデザイン

- ブレークスルーセラピー指定を受け、申請用の試験が完了
- NDAを提出、承認されれば初めてのFDA承認薬となる

3

TAK-721発売に向けた 武田の力強い基盤

- 消化器疾患領域の製品の販売実績を有する業界リーダー
- 2021年度上期に米国発売予定

EoE (好酸球性食道炎) とは？



EoEは、食道における慢性炎症性免疫介在性の希少疾患であり、成人および小児において、しばしば“dysphagia”（嚥下障害）を引き起こす

未治療のまま病態が進行すると、線維性疾患、食道狭窄および関連する食物嵌頓（食物の詰まり）に進行する可能性がある

生検により、食道内的好酸球数が高値 ($>15/\text{hpf}$)であることを確認して診断される



EoE患者さんの日常はどのようなものか？



身体的な
疼痛



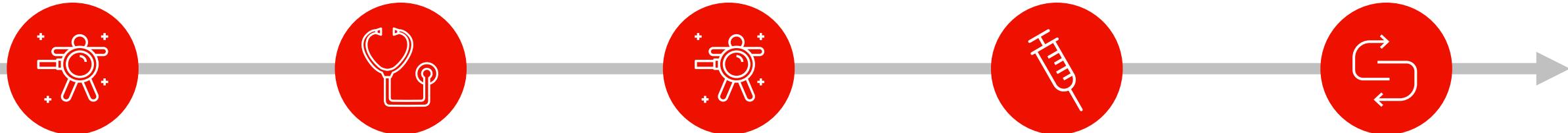
栄養補給の維持



社会的な
孤立

何日も何週間も何の症状がない状態が続くこともあります、
常にまた喉が詰まるかもしれないと考えて生活しているような気がします。
食べ物のことを四六時中考えなくて済むように戻りたいです。

疾患経過には複数の診療科が関わり、診断までに長い時間をする



EoE前診断 (6か月)

治療:

- 50%は未治療
- 34%がPPIで治療

併発疾患:

- 30%にアレルギー疾患がある
- 45%にGERDや嚥下障害がある

EoE診断手順

- 72%が内視鏡検査で診断
- 25%は内視鏡検査を受けたことがあるが、生検を受けていない

初回EoE診断

- 62%が消化器内科医によって診断
- 8%がアレルギー専門医によって診断

治療開始

- 77%は18カ月以内に治療を受ける
- 治療した患者さんの63%は消化器内科医によって治療開始

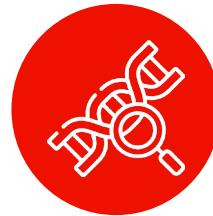
治療継続

- 治療を開始後、12カ月間で6.5カ月間（平均）治療を継続

EoEは比較的新しく稀な疾患であるが、有病者数は増加中



米国の**約2,000人に
1人が**EoEに罹患¹⁻⁵して
いる



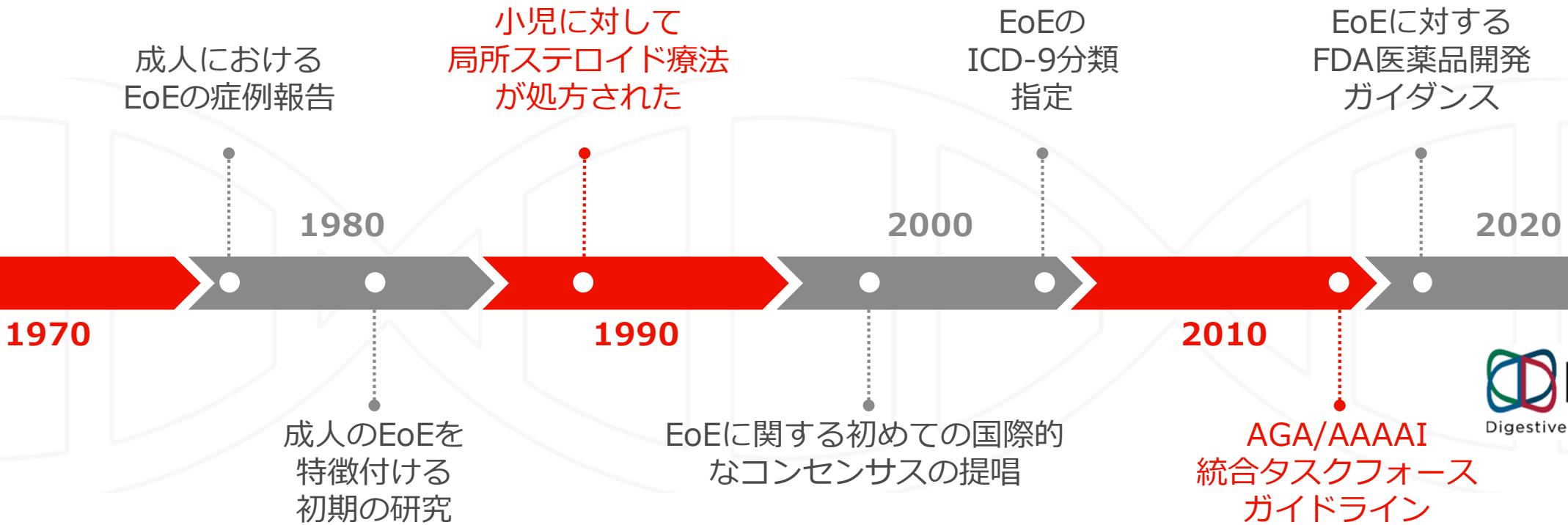
新たなエビデンスとして、
微生物叢などの環境因子、
微生物に影響する若年期
イベントおよびその他の
因子が、EoEの有病者数の
増加に寄与している可能性
を示唆^{1,10-14}



EoEはあらゆる世代で発
症しうるが、主に50歳未
満の成人および青年で好
発し、男性では2倍の頻度
でみられる^{4,6-9}

1. O'Shea KM, Aceves SS, Dellow ES, et al. *Gastroenterology*. 2018;154(2):333-345.
2. Dellow ES, Jensen ET, Martin CF, et al. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 2014;12(4):589-596.
3. Dellow ES. *Gastroenterol Clin North Am*. 2013;42(1):133-153.
4. Dellow ES. *Gastroenterol Clin North Am*. 2014;43(2):201-218.
5. Spergel JM, Book WM, Mays E, et al. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2011;52(3):300-306.
6. Muir AB, Brown-Whitehorn T, Godwin B, et al. *Clin Exp Gastroenterol*. 2019;12:391-399.
7. Lucendo AJ, Molina-Infante J, Arias Á, et al. *United European Gastroenterol J*. 2017;5(3):335-358.
8. Shaheen NJ, Mukkada V, Eichinger CS, et al. *Dis Esophagus*. 2018;31(8):1-14.
9. Mansoor E, Cooper GS. *Dig Dis Sci*. 2016;61(10):2928-2934.
10. Dellow ES, Hirano I. *Gastroenterology*. 2018;154(2):319-332.e3.
11. Furuta GT, Katzka DA. *N Engl J Med*. 2015;373(17):1640-1648.
12. Harris JK, Fang R, Wagner BD, et al. *PLoS One*. 2015;10(5):e0128346.
13. Carr S, Chan ES, Watson W. *Allergy Asthma Clin Immunol*. 2018;14(Suppl 2):58.
14. Alexander ES, Martin LJ, Collins MH, et al. *J Allergy Clin Immunol*. 2014;134(5):1084-1092.

EoEに対する学術的な関心、期待、研究活動は増加している



Digestive Disease Week®

患者さんは「私は問題なく食べています」と言いますが、肉を食べるのをやめたのは、「また喉が詰まるのではないか」という恐怖心があるからです。....だから、病気が良くなつたのではなく、食べ物を避けているために症状が出ないだけなのです。

Dr Ikuo Hirano, Professor of Medicine at Northwestern University Feinberg School of Medicine

現在の米国での治療アプローチは限定的



患者さんによる適応行動



徹底的な食事管理



食道の拡張



適応外使用による治療



プロトン
ポンプ阻害薬 吸入ステロイド



嚥下 吸入ステロイド



SUGAR JELLY
自家製
「スラリー」



配合
調剤

EoEにおけるポテンシャルについてのまとめ



- EoEの有病者数および罹患者数の増加
- 質の高い治療選択肢への限定的なアクセス
- 疾患マネジメントの一貫性に課題があるものの、医療従事者からの高い关心と期待を集める
- 患者さんの認知度と啓蒙レベルが低く、診断に長い時間をする
- リーダーシップの必要性



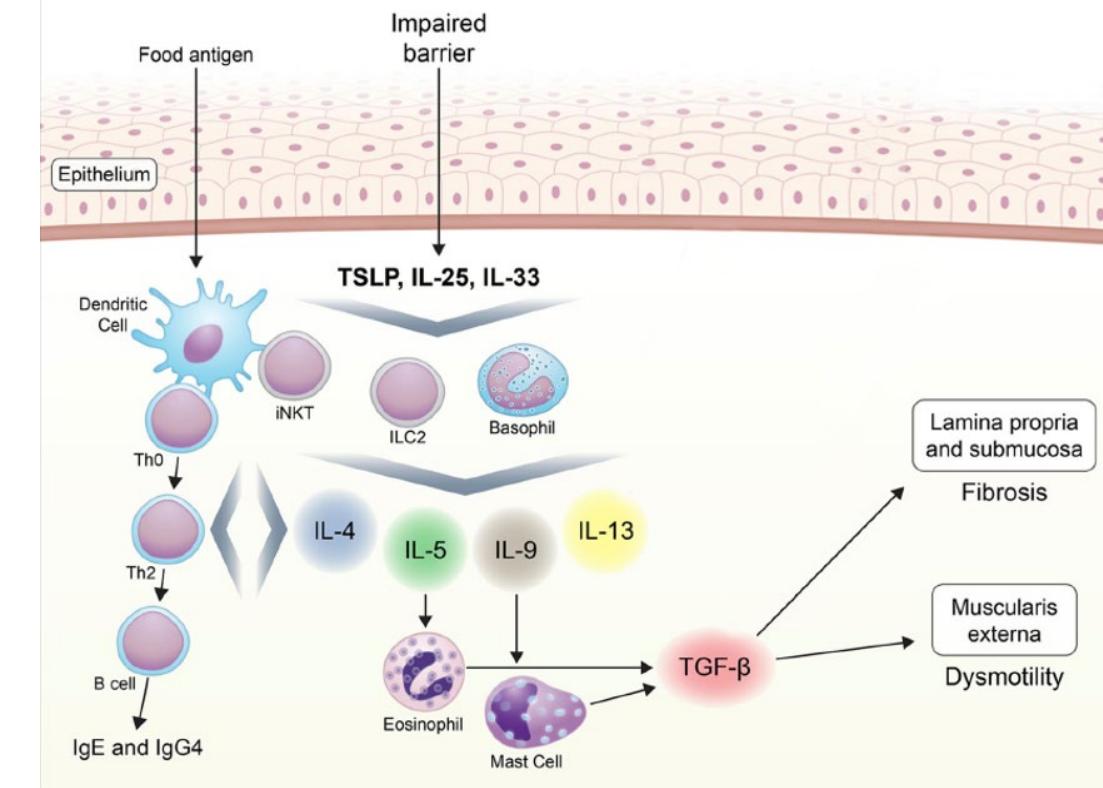
TAK-721はEoEのアンメットニーズの解決策になりうる



食道の炎症を特異的に標的とした、局所作用性の経口ブデゾニド粘稠性懸濁液

TAK-721は、強力な局所抗炎症作用と糖質コルチコイド作用を有する合成第2世代非ハロゲン化コルチコステロイド

TAK-721は、複数の細胞種に対し、幅広い阻害活性を有している



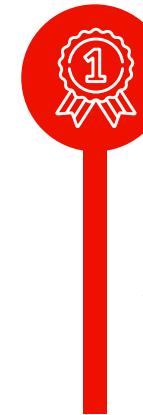
EoEに対する先駆的な臨床開発プログラムを FDAと相談しながら推進



EoEにおける
オーファンドラッグ指定
(2006年)



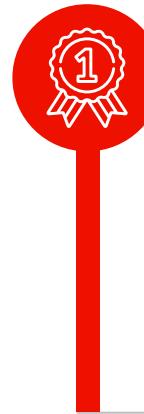
EoEにおける
ブレークスルーセラピー指定
(2016年)



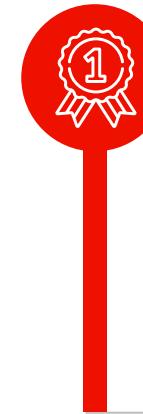
EoEに対する
米国新薬承認申請 (2020年)



FDAと合意した、EoEに特
化した最大規模の臨床第2相
試験および臨床第3相試験の
包括的開発プログラム
(完了済み)



EoEに特化したPatient
Reported Outcome toolを
開発・FDAと検証 -
Dysphagia Symptom
Questionnaire (DSQ)

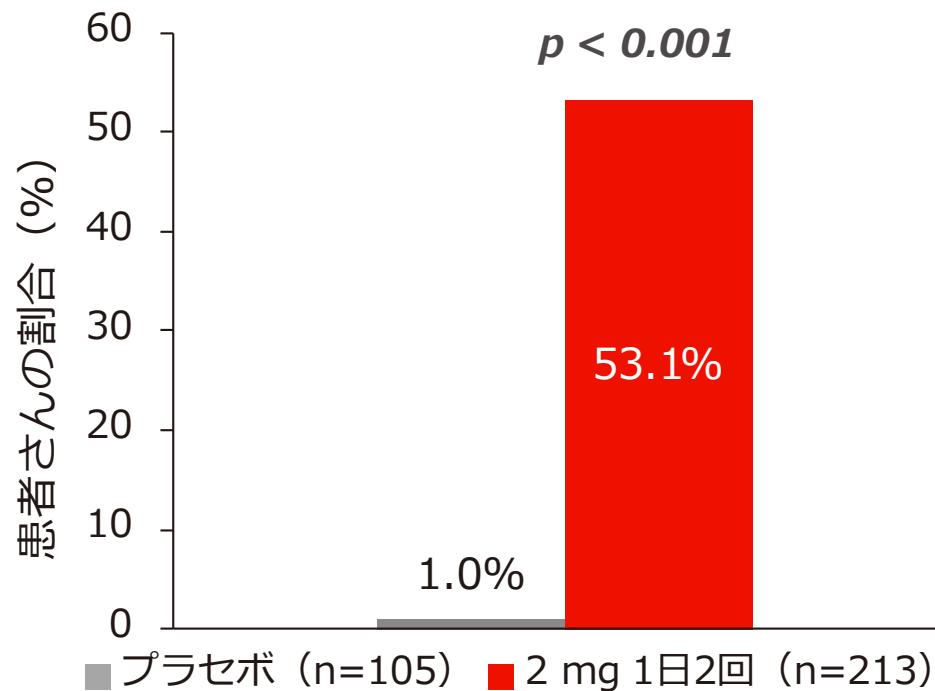


1つのプログラムで青年お
よび成人を対象とし、
組織学的、症状および内視
鏡的な評価項目を含めた
臨床第3相試験プログラム

2019年10月テキサス州で開催されたACGのプレジデンシャル・プレナリーで発表された結果

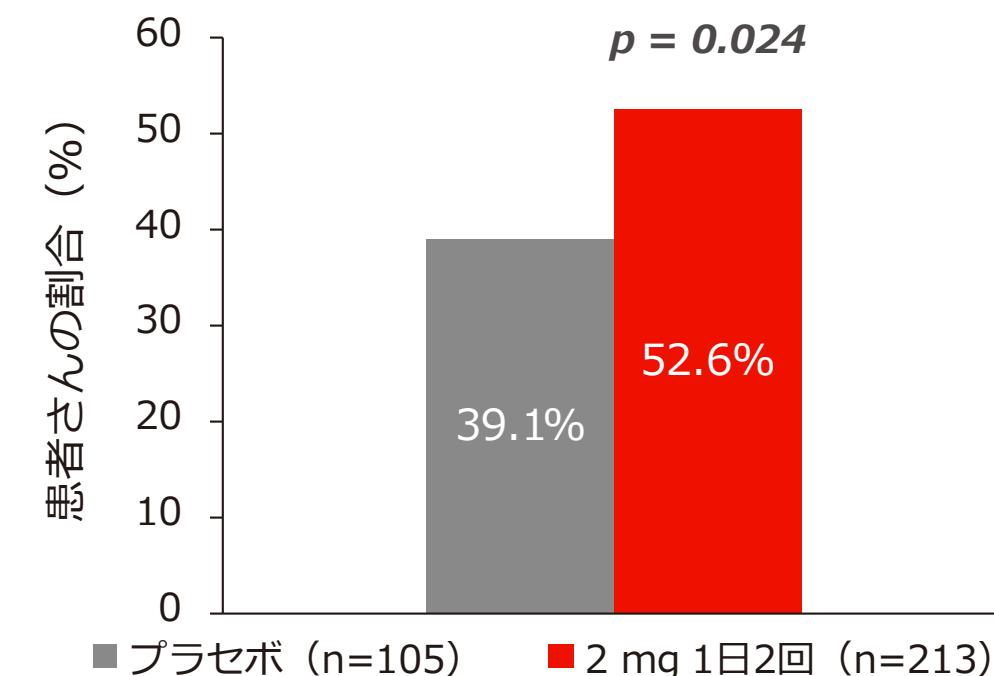
12週時点での組織学的改善率

(生検組織の好酸球が強拡大視野あたりピークで6個以下)
有意水準：0.05



12週後の症状改善率

(DSQスコア¹の30%以上の低下)
有意水準：0.05

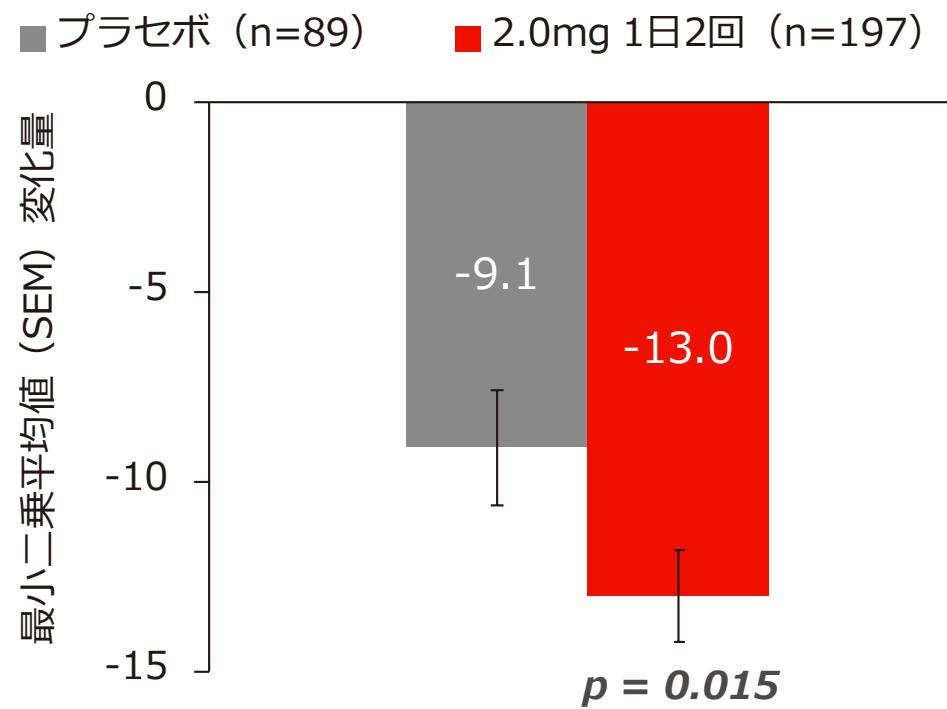


1. DSQスコア：嚥下困難症状質問票患者報告アウトカムスコア、eos/hpf：内視鏡生検からの強拡大1視野あたりの好酸球ピーク値
ACG：米国消化器学会

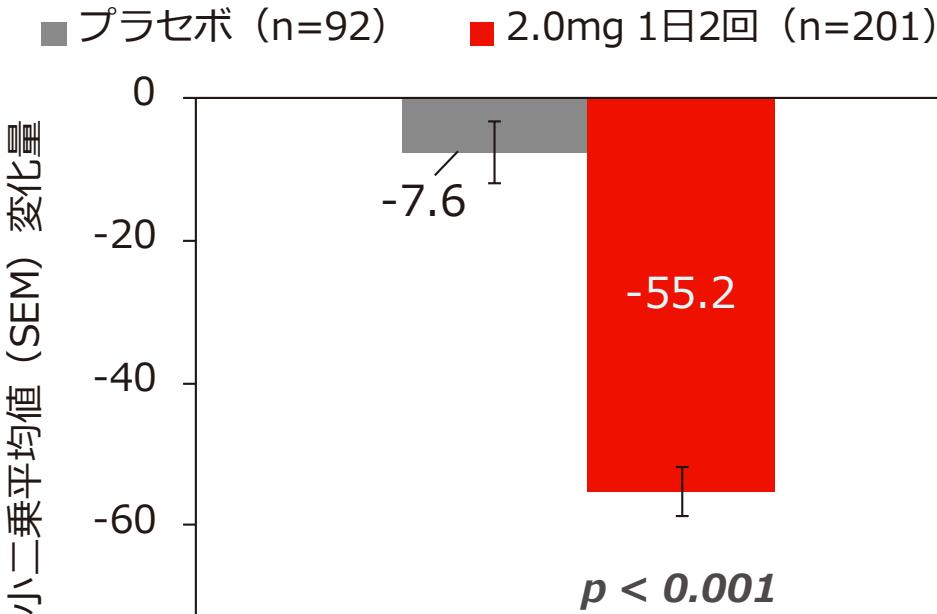
主要な副次評価項目を達成



DSQスコアの変化
(12週時点のベースラインからの変化量)
有意水準 : 0.05



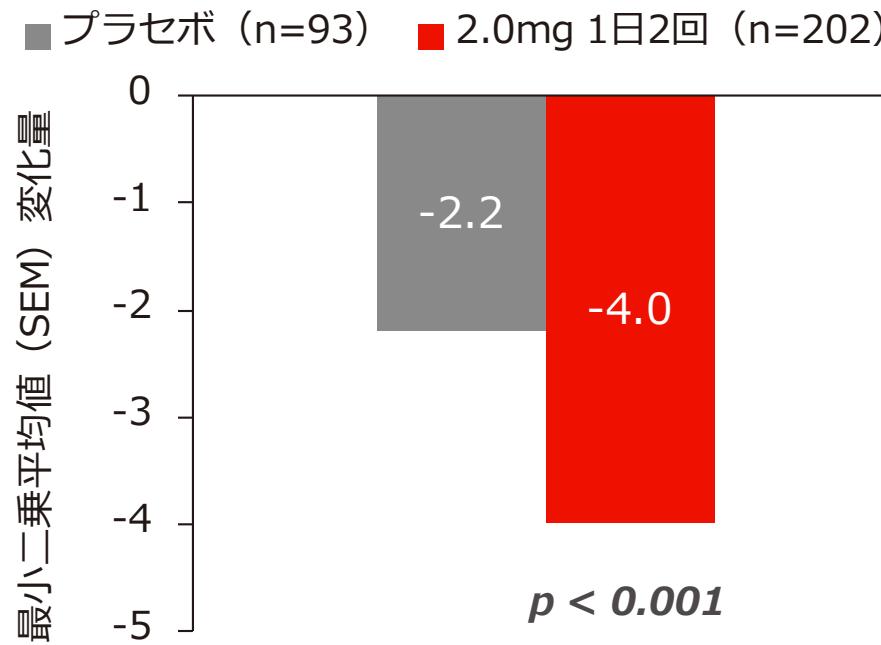
総ピーク好酸球数の変化
(12週時点のベースラインからの変化量)



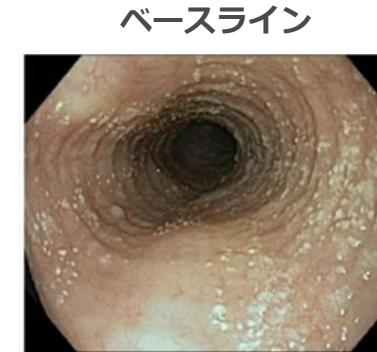
12週時点の内視鏡所見 (EREFs) に関する評価項目



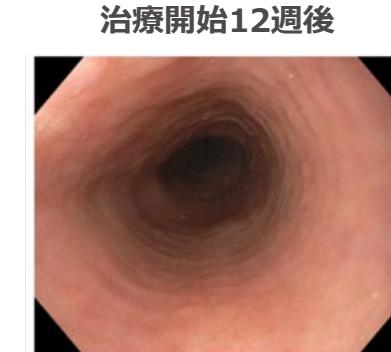
総EREFsスコアの変化量 ベースラインから治療開始12週目まで



当該試験 (ORBIT 1試験) における患者さんの例



ベースライン



治療開始12週後

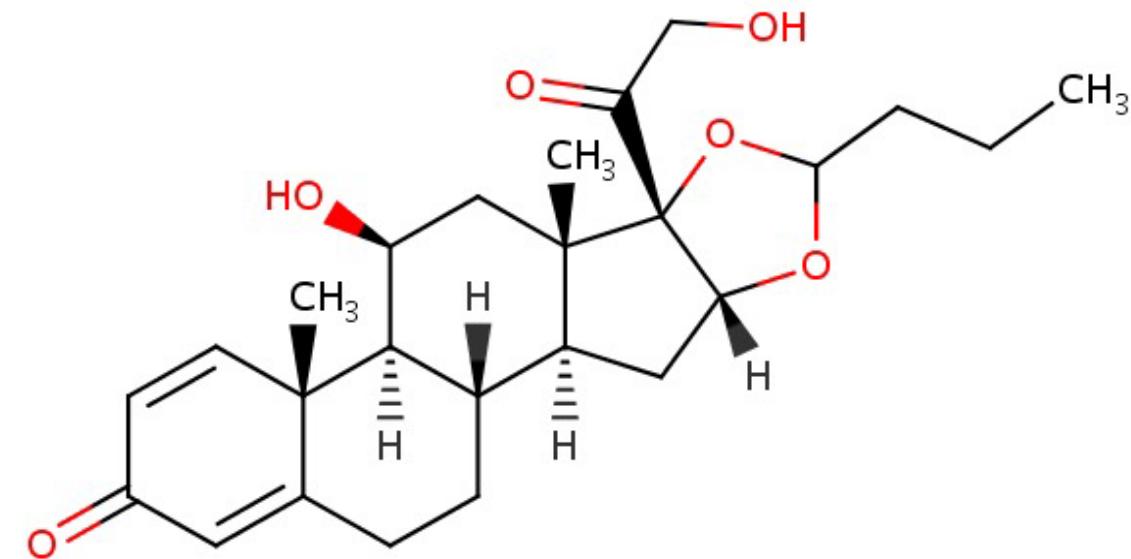
ブデソニドの既知の安全性プロファイルと一致した安全性結果



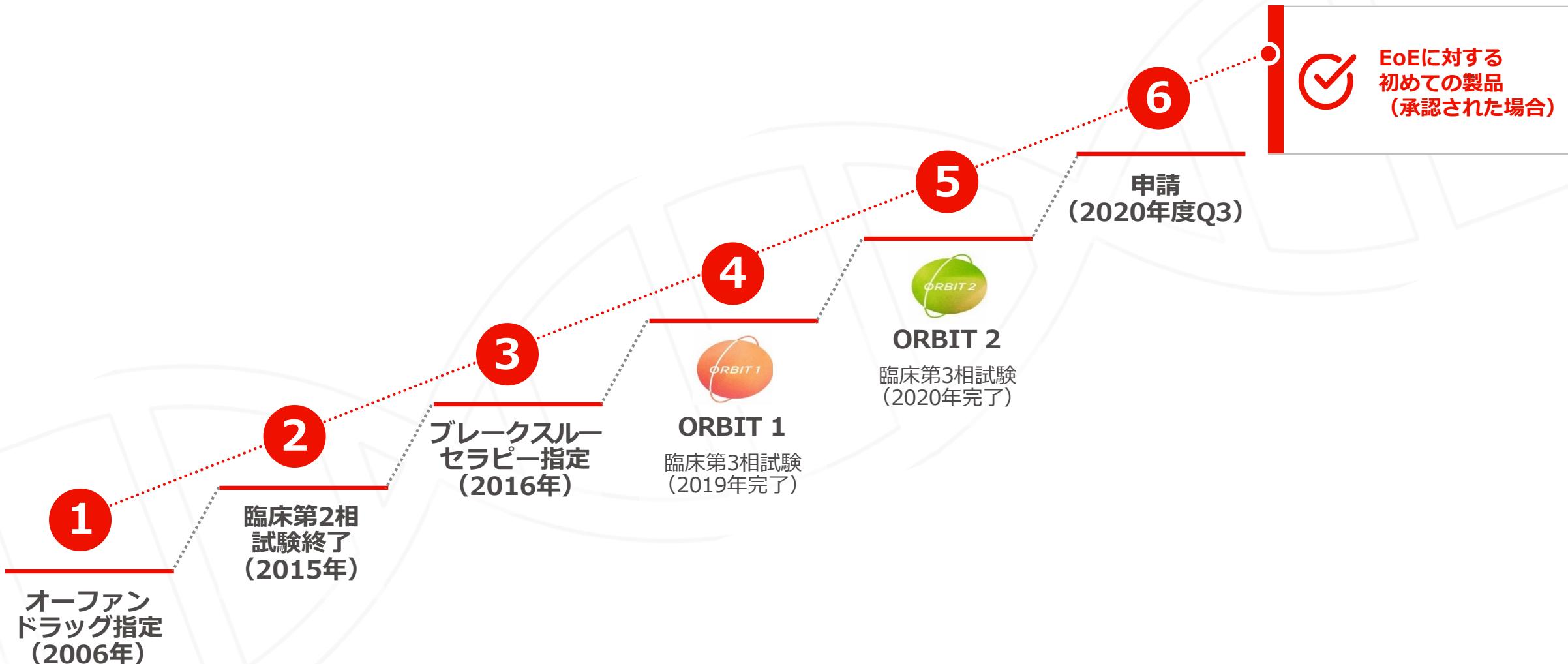
TAK-721の忍容性は良好

試験治療下で発現した有害事象 (TEAE) は、
12週間後にTAK-721群 (61.0%) と
プラセボ群 (61.0%) で同程度

報告されたTEAEのほとんどは、
軽度または中等度



米国における初のEoE承認治療薬に向けたロードマップ





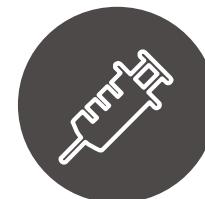
TAK-721はEoEにおける初のFDA承認製品として、
1次治療の標準治療薬となるポテンシャルをもつ

1次治療



生物学的製剤治療
現在試験中

後期治療





広範な 患者さんアクセス

ペイヤーに示す**強力な価値提案**

現在、多くの患者さんが適応外治療のために
治療費を全額自己負担している

可能な限り多くの患者さんが、
TAK-721にアクセスできるようにする方針

TAK-721へのアクセスを可能にする
サービスとソリューション

TAK-721ブランドの上市準備が整ったUSビジネスユニット



 Eohilia
(budesonide oral suspension) 2mg

TAK-721ブランドの上市準備が整ったUSビジネスユニット



医療従事者

販売体制

- メディカル、ソートリーダー・リエゾン、および販売担当者を採用済。EoE領域で発売開始できる体制を既に構築

疾患教育

- 「SeeEoE.com」の開始によるEoEの認知度を向上させる新たなデジタルアプローチの導入

KOLエンゲージメントおよび学会でのプレゼンス

- ACGでの疾患認知度向上の取り組み、並びにコマーシャルおよびメディカルのAdvisory Boardの開催（実施済）

患者さん

患者さんの認知度

- デジタルチャネルを通じた患者さん中心の疾患啓発キャンペーンの開始

製品アクセス

- 患者さんサービスおよびアクセスの計画が、適切に整備されることを確認

発売する剤形

- 発売に向けた新剤形の開発

患者さん支援団体とのパートナーシップ

- 教育およびサポートの格差を把握し、診断および標準治療の向上を図る

炎症性腸疾患における
リーダーシップ

 Entyvio®

 Lialda™

 PENTASA

短腸症候群における
リーダーシップ

 Gattex®

運動性および酸関連疾患
におけるリーダーシップ

 motegrity™

 amitiza

 DEXILANT

 Takecab®

EoEにおける
リーダーシップ

 Eohilia



EoEに対する初のFDA承認治療法でGI領域のリーダーシップを強化するポテンシャルをもつ

1

EoEにおける高い
アンメットニーズ、
求められるリーダーシップ

2

TAK-721はEoEに対して
特異的にデザイン

3

TAK-721発売に向けた
武田の力強い基盤

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



TAK-003 Deep Dive : デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン

ラジーヴ・ヴェンカヤ
グローバルワクチンビジネスユニット プレジデント



Better Health, Brighter Future

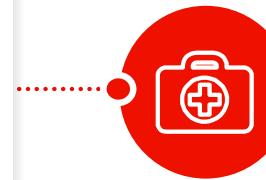
デング熱はグローバルヘルスに対する脅威Top 10の1つ

World Health Organization, 2019¹



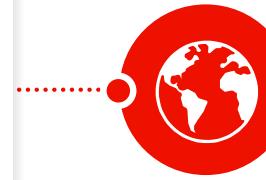
>39億人

世界でデング熱の
危険にさらされている人口²



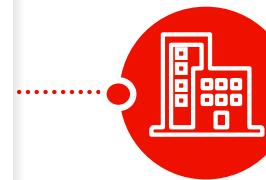
3.9億人

毎年の推定感染者数²



>100カ国

アジア・中南米を中心とした流行国²



流行地域²における小児および成人の
入院および死亡の主因

1. World Health Organization (WHO). Top ten threats to global health in 2019.
<https://www.who.int/news-room/spotlight/ten-threats-to-global-health-in-2019>

48 | 2. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/dengue-and-severe-dengue>

デング熱は世界で最も急速に広がっている 蚊媒介性ウイルス疾患¹



- デングウイルス（DENV）には4種（1-4型）の血清型があり、ネッタイシマカおよびヒトスジシマカにより媒介される²
- デングウイルスの全4種の血清型ウイルスが隨時流行しているが、その流行している血清型の特定は難しい³
- デングウイルスの2回目感染時に初回感染時とは異なる血清型ウイルスに感染した場合は、より重症化する可能性がある⁴
- マラリアなどその他の蚊媒介感染症とは異なり、デング熱の標的治療法は存在しない^{5,6}

1. WHO. https://www.who.int/images/default-source/departments/ntd-library/dengue/infographics-and-illustrations/dengue-infographic.png?sfvrsn=ae8ce604_8

2. WHO. Promoting dengue vector surveillance and control <https://www.who.int/activities/promoting-dengue-vector-surveillance-and-control>

3. Mol Biol Evol. 2010 Apr; 27(4): 811–818. Epidemic Dynamics Revealed in Dengue Evolution: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2877535/>

4. J R Soc Interface. 2013 Sep 6; Interactions between serotypes of dengue highlight epidemiological impact of cross-immunity. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3730691>

5. WHO. Malaria. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/malaria>

6. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/dengue-and-severe-dengue>

デング熱の地理的範囲は拡大している



流行地域の人口増加により、
2080年までに60億人以上が
デング熱のリスクに
さらされる可能性がある¹

*中所得国の1人あたりの国民総所得を1,036~12,535米ドル³と定義。
低中所得国と高中所得国に分類される国が含まれる。低所得国におけるデング熱影響に関するデータは限られる

デング熱の多くは、熱帯・亜熱帯気候の都市部や準都市部で発生。グローバル化、都市化、気候変動が感染症の増加に寄与¹

デング熱症例の90%以上が中所得国で発生^{2,3,4}
• ブラジル：200万症例、2019年⁵
• フィリピン：約40万症例、2019年⁶

COVID-19流行国へのさらなる負担⁷

1. Messina, J.P., Brady, O.J., Golding, N. et al. The current and future global distribution and population at risk of dengue. *Nat Microbiol* 4, 1508–1515 (2019). <https://doi.org/10.1038/s41564-019-0476-8>
2. Cases: Supplement to Stanaway JD, Shepard DS, Undurraga EA, et al. The global burden of dengue: an analysis from the Global Burden of Disease Study 2013. *Lancet Infect Dis* 2016; published online Feb 10. [http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099\(16\)00026-8](http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099(16)00026-8). Accessed Jan 14, 2019.
3. Income Classification: World Bank: List of Economies (June 2018). <https://datahelpdesk.worldbank.org/knowledgebase/articles/906519-world-bank-country-and-lending-groups>

4. 2018 World Development Indicators. World Bank. <https://databank.worldbank.org/data/reports.aspx?source=2&series=NY.GDP.MKTP.CD&country=#>.
5. WHO. <https://www.who.int/news-room/21-11-2019-who-region-of-the-americas-records-highest-number-of-dengue-cases-in-history-cases-spike-in-other-regions>
6. WHO. https://www.who.int/docs/default-source/wpro---documents/emergency/surveillance/dengue/dengue_20201105.pdf?sfvrsn=fc80101d_42
7. Harapan H, Ryan M, Yohan B, et al. Covid-19 and dengue: Double punches for dengue-endemic countries in Asia [published online ahead of print, 2020 Sep 18]. *Rev Med Virol*. 2020;e2161. doi:10.1002/rmv.2161

デング熱の感染急拡大がもたらす影響 (医療機関、家族)



感染者増加による医療機関への影響

- 地域により1カ月で400%以上の感染者増¹
- 数日間で数千人が入院する可能性²
- 一般/治療病棟をデング熱治療病棟に転換¹

感染者家族のデング熱治療費 による経済的負担は甚大になりうる

- 流行国で入院した場合の1人当たりの平均コストは36~2,000米ドル³
- 1世帯における入院費は、毎月の世帯収入の15~23%であり、社会経済的要因によっては、それ以上を入院費に費やす可能性がある^{4,5}

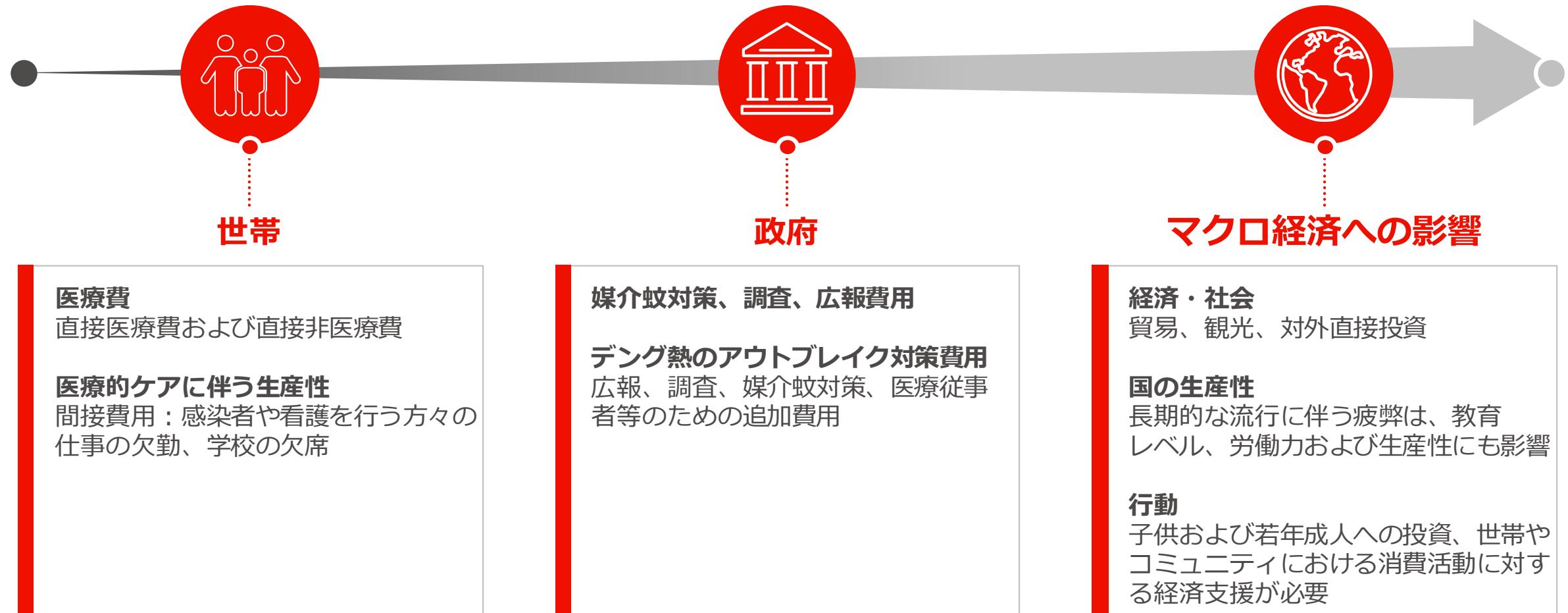
「恐ろしい状況だった。公的/民間問わず病院には多くの人が詰めかけていた。
私立病院の救急医療センターはその対応能力を超えていた。」¹

1. PLOS. Neglected Tropical Disease. Societal impact of dengue outbreaks: Stakeholder perceptions and related implications. A qualitative study in Brazil, 2015
2. WHO scales up response to worldwide surge in dengue <https://www.who.int/news-room/feature-stories/detail/who-scales-up-response-to-worldwide-surge-in-dengue>

4. Shepard, et al. Lancet Infect Dis 2016;16:935-41
5. Tozan Y, Ratanawong P, Sewe MO, Wilder-Smith A, Kittayapong P. Household costs of hospitalized dengue illness in semi-rural Thailand. PLoS Negl Trop Dis. 2017;11(9):e0005961.

6. Sri Lanka Journal of Child Health, 2014; 43(4): 205-207 .
Economic cost of hospitalized non-fatal paediatric dengue at the Lady Ridgeway Hospital for Children in Sri Lanka

デング熱による広範にわたる経済的影響¹⁻⁴



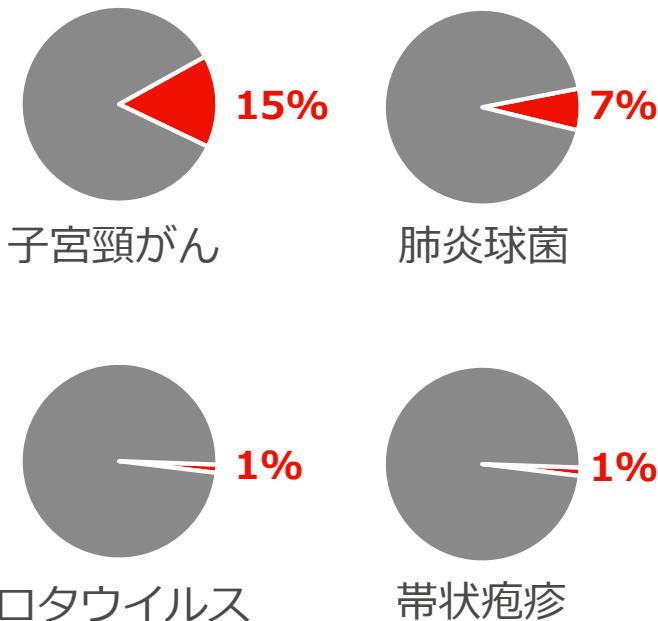
広範囲にわたる Dengue熱ワクチンの接種対象者

流行国におけるDengue熱ワクチンの接種対象者数は、近年発売されたワクチンのそれを大きく上回る¹



全人口に占めるワクチン接種対象者の割合 (%) (ブラジル)²

近年発売されたワクチン

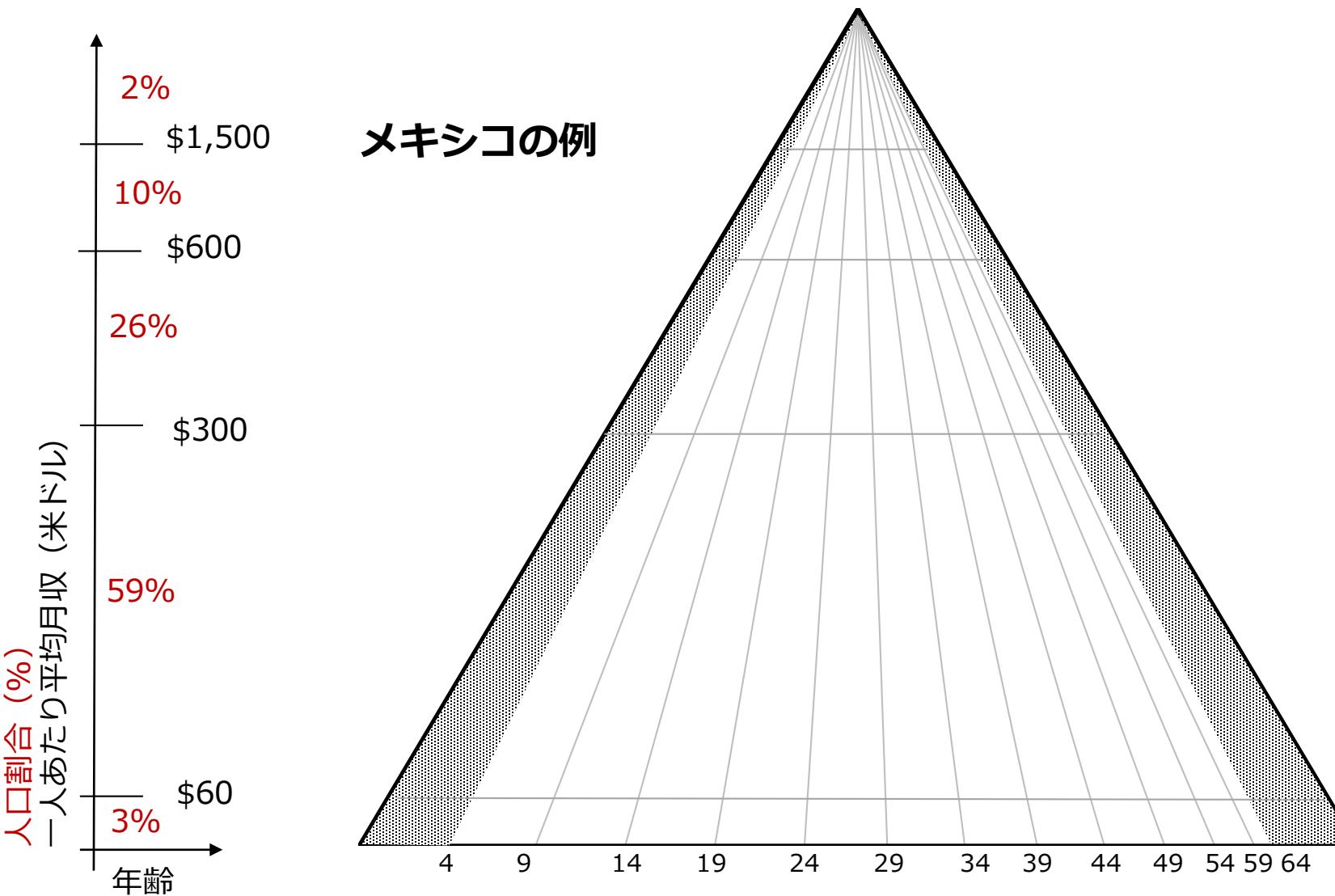


広範囲で多様な対象者

- 都市部～農村部の住民
- 小児、青年、成人
- 男性、女性

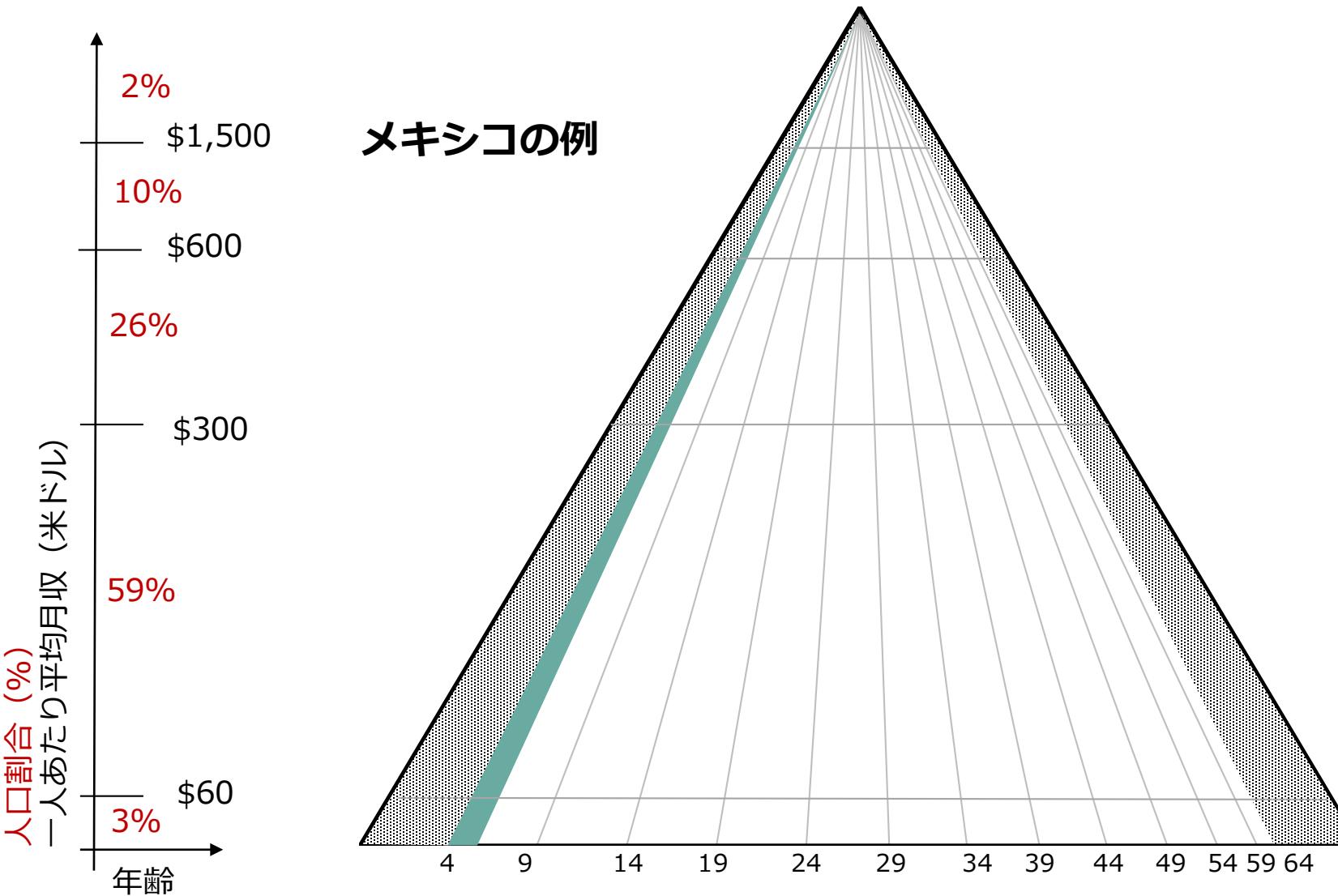
53 | 1. ブラジルでのデータを流行国の例として示しています。
2. 接種対象者/全人口で算出

流行国でのアクセス最大化プラン



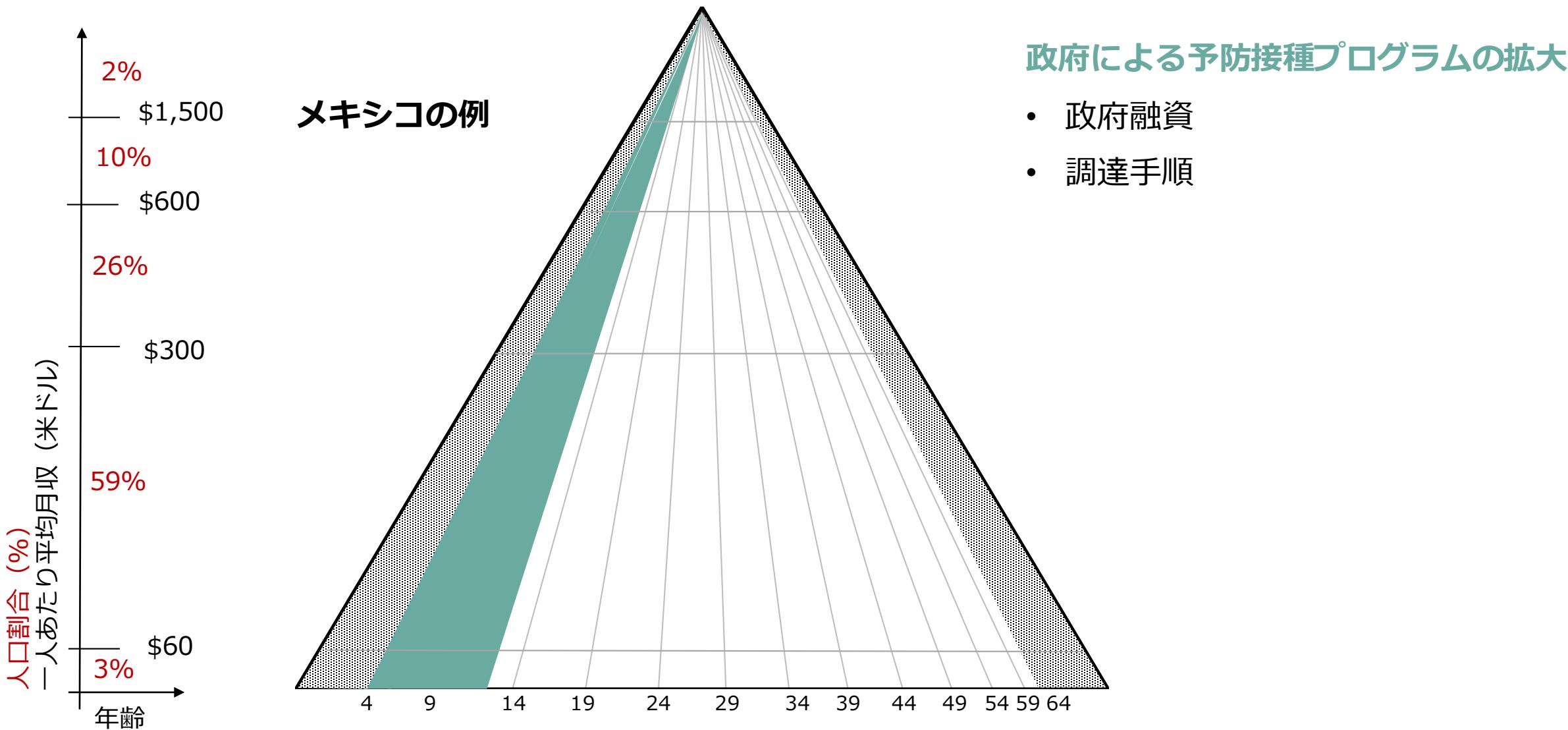
1. 統計データの出所 : Pew Research CenterによるWorld Bank PovcalNetデータベース (Center for Global Development版はHarvard Dataverse Network上で利用可能) およびリクセンブルグ所得調査データベースのデータ分析 (2011年)
2. 表示されている図は、説明のための暫定的なものです。実際のプログラムの範囲は異なる場合があります。

流行国でのアクセス最大化プラン



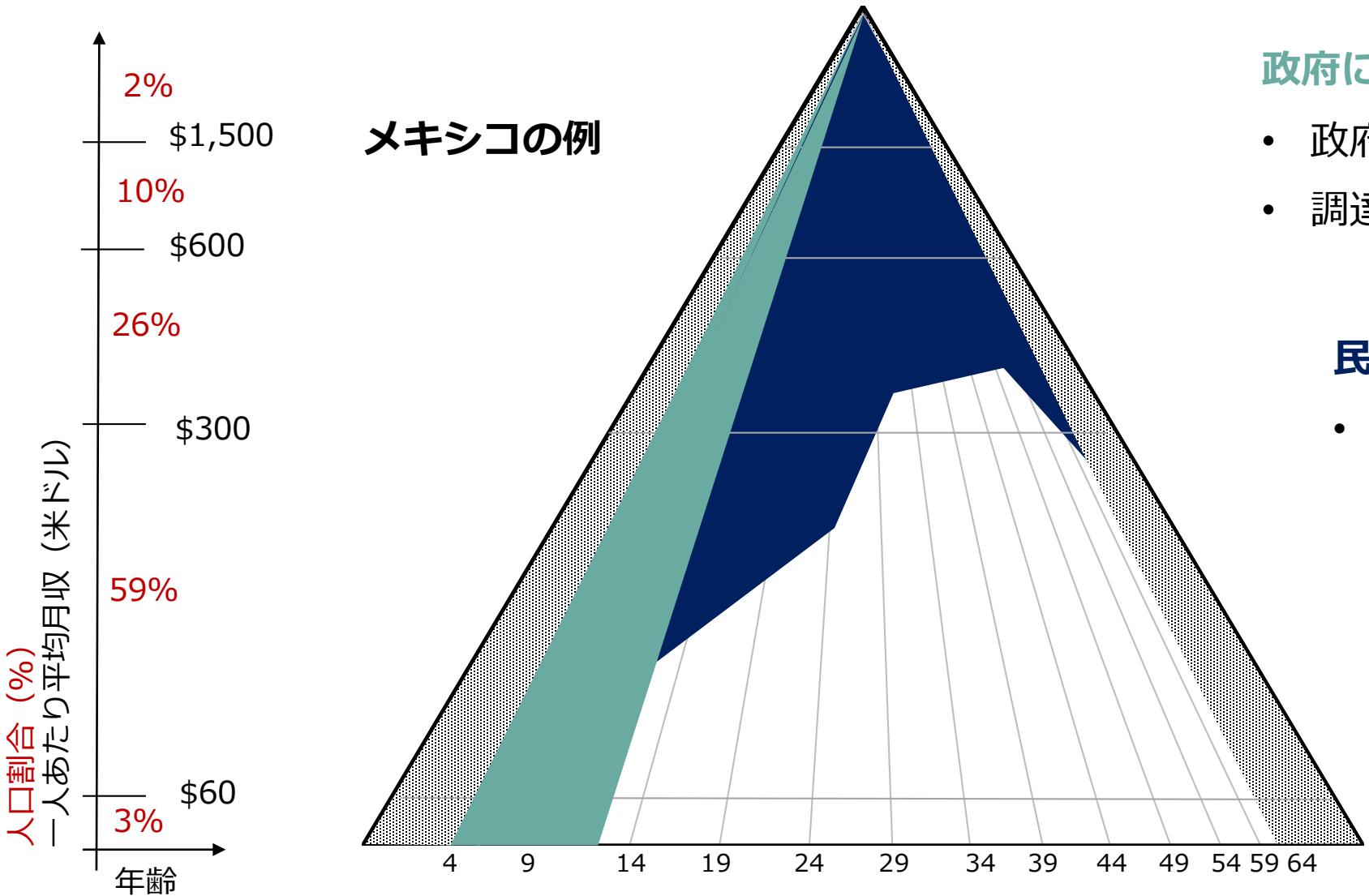
1. 統計データの出所 : Pew Research CenterによるWorld Bank PovcalNetデータベース (Center for Global Development版はHarvard Dataverse Network上で利用可能) およびリクセンブルグ所得調査データベースのデータ分析 (2011年)
2. 表示されている図は、説明のための暫定的なものです。実際のプログラムの範囲は異なる場合があります。

流行国でのアクセス最大化プラン



1. 統計データの出所 : Pew Research CenterによるWorld Bank PovcalNetデータベース (Center for Global Development版はHarvard Dataverse Network上で利用可能) およびリクセンブルグ所得調査データベースのデータ分析 (2011年)
2. 表示されている図は、説明のための暫定的なものです。実際のプログラムの範囲は異なる場合があります。

流行国でのアクセス最大化プラン



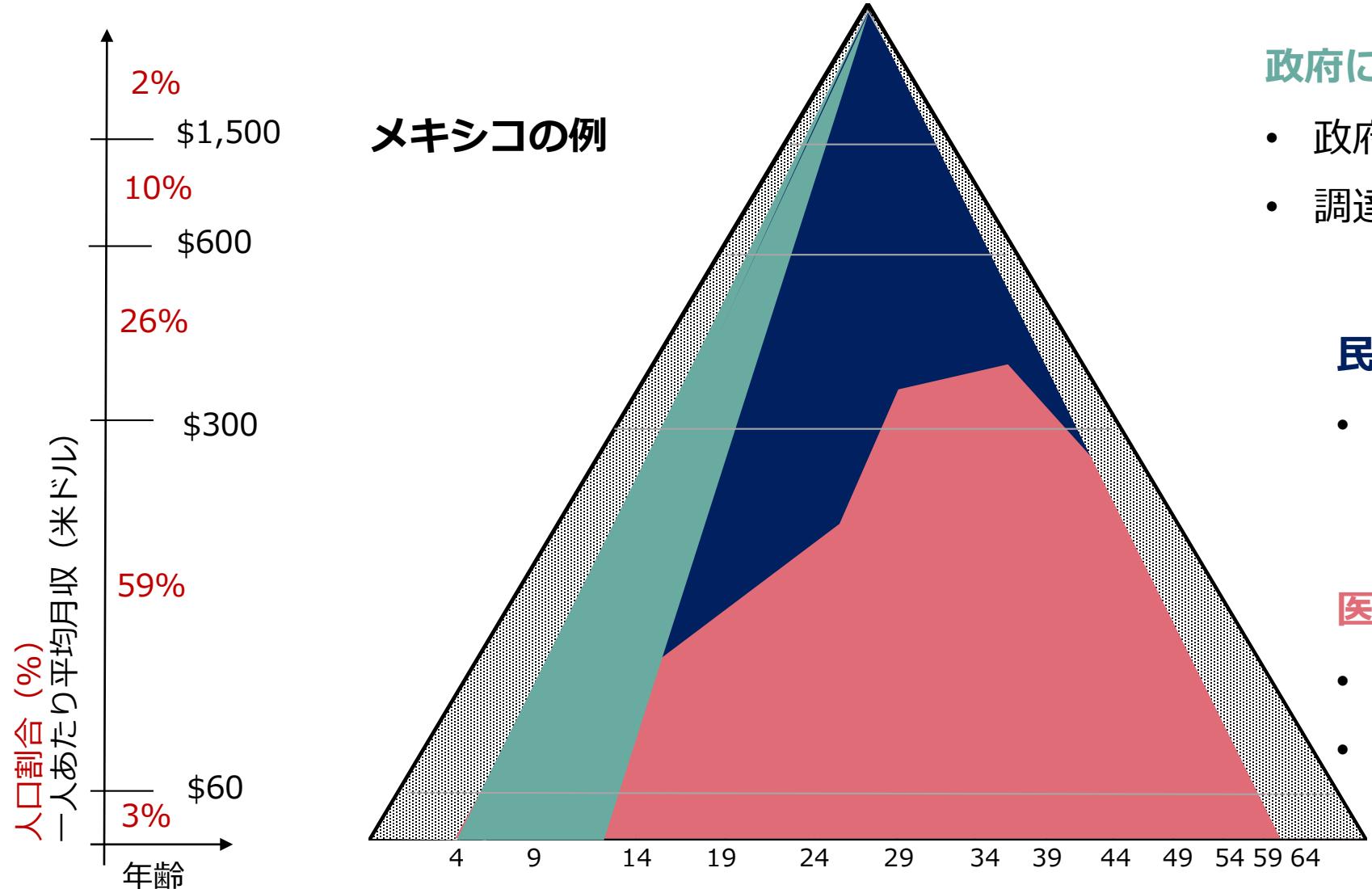
政府による予防接種プログラムの拡大

- 政府助成金
- 調達手順

民間セクターの活性化

- 個人への助成金

流行国でのアクセス最大化プラン



政府による予防接種プログラムの拡大

- ・ 政府助成金
- ・ 調達手順

民間セクターの活性化

- ・ 個人への助成金

医療へのアクセス

- ・ 患者さん支援プログラム
- ・ 脅威にさらされている人々

トラベルワクチンとしての非流行国市場での有用性



デング熱は、**ラテンアメリカ、カリブ海、東南アジア**から帰国する旅行者における発熱の主因^{1,2}となつており、その数はマラリアを上回る

2018年に米国、カナダ、欧州からデング熱流行国へ移動した人の数は**9,000万人*以上³**

*非居住者による移動



1. Halstead S, Wilder-Smith A. Severe dengue in travelers: pathogenesis, risk and clinical management. J Travel Med. 2019;26(7).

2. CDC. Yellow Book. <https://wwwnc.cdc.gov/travel/yellowbook/2020/travel-related-infectious-diseases/dengue>

3. World Tourism Organization Yearbook of Tourism Statistics, Data 2014 – 2018, 2020 Edition https://tillvaxtverket.se/download/18.5d4267f7170c014f2fcbbfaa/1583832450663/Yearbook_2020_ed.pdf

TAK-003はデング熱による甚大な世界的問題の対処法となる可能性



TAK-003は、過去のデングウイルスの感染歴にかかわらず、小児および成人を対象に、デングウイルスの4種すべての血清型に対して予防効果を示すことを目的として開発

TAK-003は4価デング熱ワクチンであり、4種のワクチンウイルス型すべての遺伝子型の“バックボーン”として弱毒化された生の2型デングウイルスを使用

複数の免疫応答を誘導するように設計



ピボタル臨床第3相試験デザイン



DEN-301：ラテンアメリカおよびアジアの流行地域において、小児20,099例（4～16歳）をTAK-003投与群またはプラセボ投与群のいずれかに2:1の割合で無作為割り付け：地域ごとの被験者バランスの整合性あり¹



TAK-003は強固な安全性プロファイルを有し デング熱に対し有効性を示した



DEN-301試験の主要評価項目
(12ヶ月時点の有効性)を達成¹



デング熱に対する
有効率は80%

全体のワクチン有効率は80.2%
(73.3, 85.3; p<0.001)¹
(全てのウイルス血清型やベース
ラインでの血清反応を含めた全体
の有効率)

DEN-301試験の副次評価項目(18ヶ月時点の有効性)の大部分を達成²



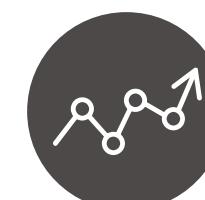
デング熱による入院
に対する有効率は90%

デング熱による入院のワクチン有
効率は90.4% (82.6, 94.7;
p<0.001)²
(全てのウイルス血清型やベース
ラインでの血清反応を含めた全体
の有効率)



幅広い予防

ベースラインでの血清反応陽性被
験者集団および陰性被験者集団の
両集団におけるワクチン有効率は
同程度であり、それぞれ76.1%
(68.5, 81.9)、66.2% (49.1,
77.5)²



有効性は
デングウイルスの
血清型により異なる²

DENV1 : 69.8%VE (54.8, 79.9)
DENV2 : 95.1%VE (89.9, 97.6)
DENV3 : 48.9%VE (27.2, 64.1)
DENV4 : 症例数が不十分なため評価
できず

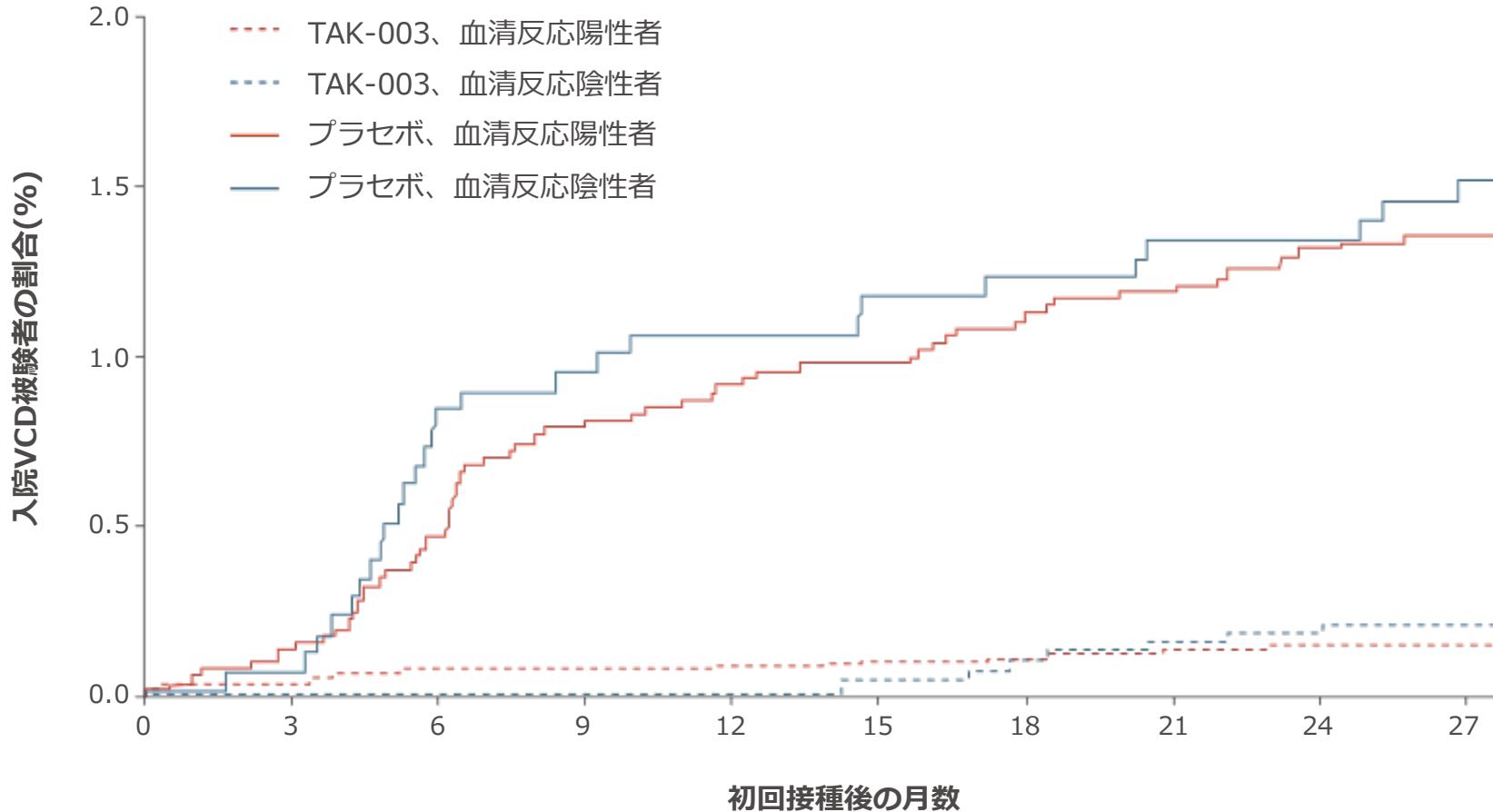
TAK-003の忍容性は良好であり、強固な安全性プロファイルを有する^{1,2}

62 | 1. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children and adolescents. *N Engl J Med.* 2019; Retrieved November 2019.
2. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children aged 4-16 years: a randomized, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet.* 2020. doi:10.1016/S0140-6736(20)30414-1

ベースライン血清反応陰性：デングウイルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライ
ン血清反応陽性：1つ以上のデングウイルス血清型に対し、中和抗体値が10以上。
VE : ワクチン有効率 (95%信頼区間)

デング熱による入院が約90%減少

観察期間24ヶ月



全体ワクチン有効率	89.2% (82.4, 93.3)
ベースライン 血清反応陰性	87.0% (70.1, 94.3)
ベースライン 血清反応陽性	90.0% (81.9, 94.5)

ベースライン血清反応陰性：デングウィルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウィルス血清型に対し、中和抗体値が10以上。

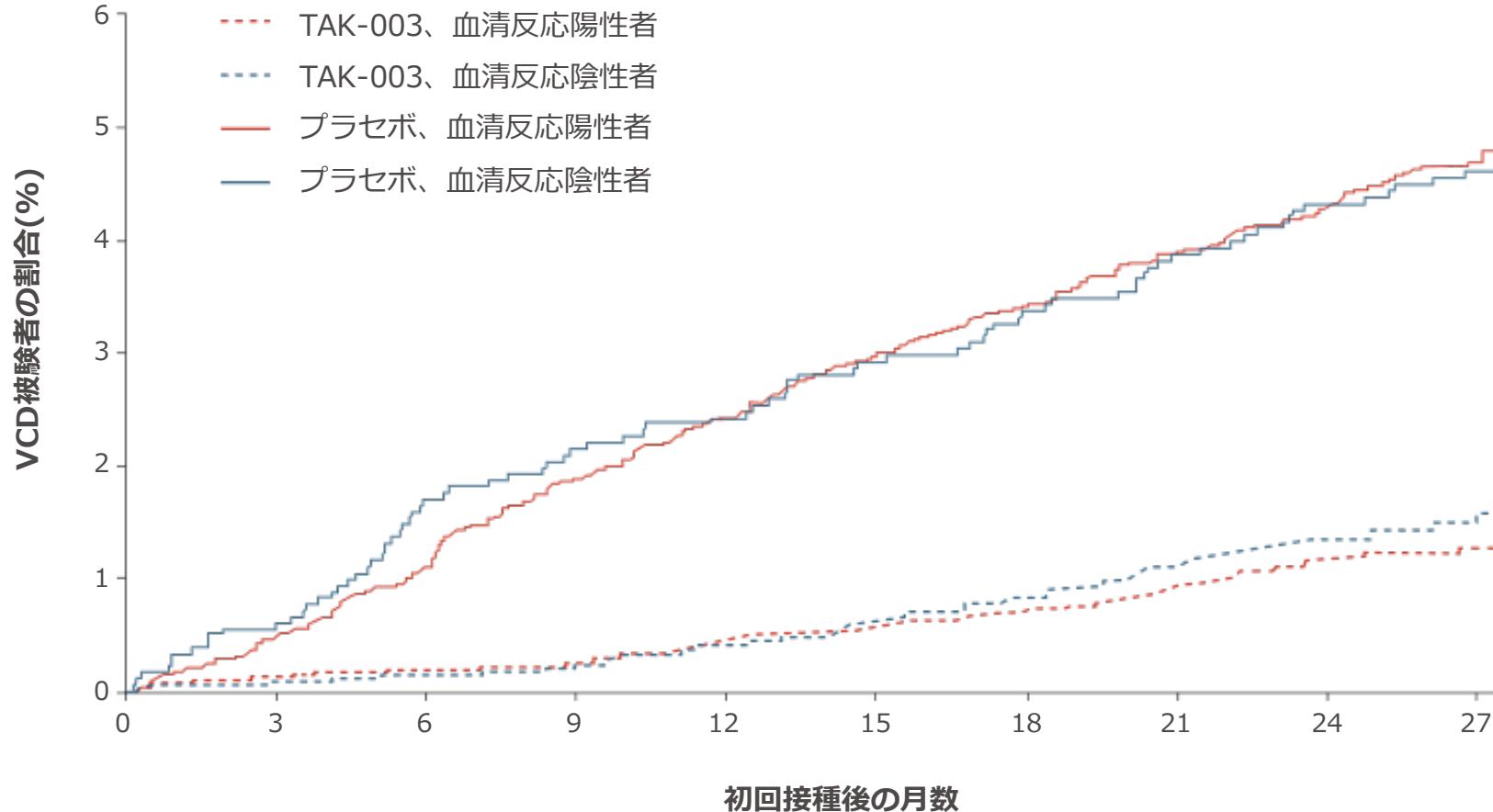
63 | VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

デング熱の発症を70%以上減少

観察期間24ヶ月



全体ワクチン有効率	72.7% (67.1, 77.3)
ベースライン 血清反応陰性	67.0% (53.6, 76.5)
ベースライン 血清反応陽性	74.8% (68.6, 79.8)

ベースライン血清反応陰性：デングウィルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウィルス血清型に対し、中和抗体値が10以上。

64 | VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

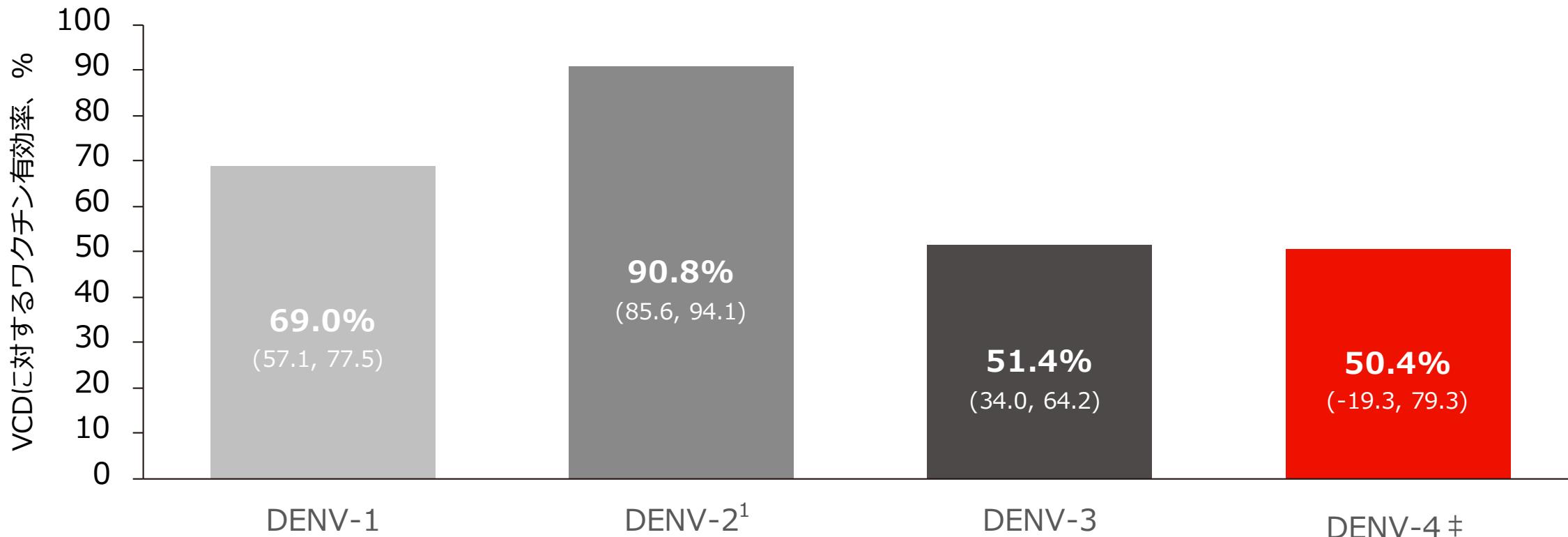
1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

有効性はデングウイルス血清型により異なるが、最も流行している デング2型ウイルスでデング熱を最も減少*

24カ月までのデータ¹



デング熱に対するワクチン有効率 (VE) [†] (24カ月までのデングウイルス血清型別の有効率)



初回接種から2回目接種後2年後までの安全性データセット

*本試験ではDENV-1とDENV-2が最も多く見られたのに対し、DENV-4は最も少なく見られました。

†ベースライン血清反応陽性及び血清反応陰性の両方を含みます。

#デング4型ウイルスの症例は限られていきました。

ベースライン血清反応陰性：デングウイルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウイルス血清型に対し、中和抗体価が10以上。

VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

TAK-003の安全性と忍容性

24カ月までのデータ



TAK-003の2回目接種後、
24カ月までにわたる強力
な安全性プロファイル¹

ベースライン血清反応陰
性者における疾患増悪の
エビデンスなし^{1,2,3}

18カ月時点ではベースラ
インDENV-3血清反応陰
性集団で若干のデング熱
増加*が見られたが、
24カ月時点では安定化^{1,3}

*この知見や有効性の欠如は統計的に有意ではありませんでした。

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

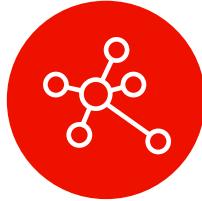
2. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children and adolescents. *N Engl J Med.* 2019; Retrieved November 2019.

3. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children aged 4-16 years: a randomized, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet.* 2020. doi:10.1016/S0140-6736(20)30414-1

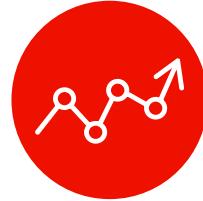
接種2年後データに基づく強固な有効性と安全性プロファイル



デング熱による
入院の確実な減少¹



デング熱に対する
継続的な有効性を
確認。1年目と2年
目の間に若干の効
果減弱が見られた
ため追加免疫の必
要性について評価
予定¹



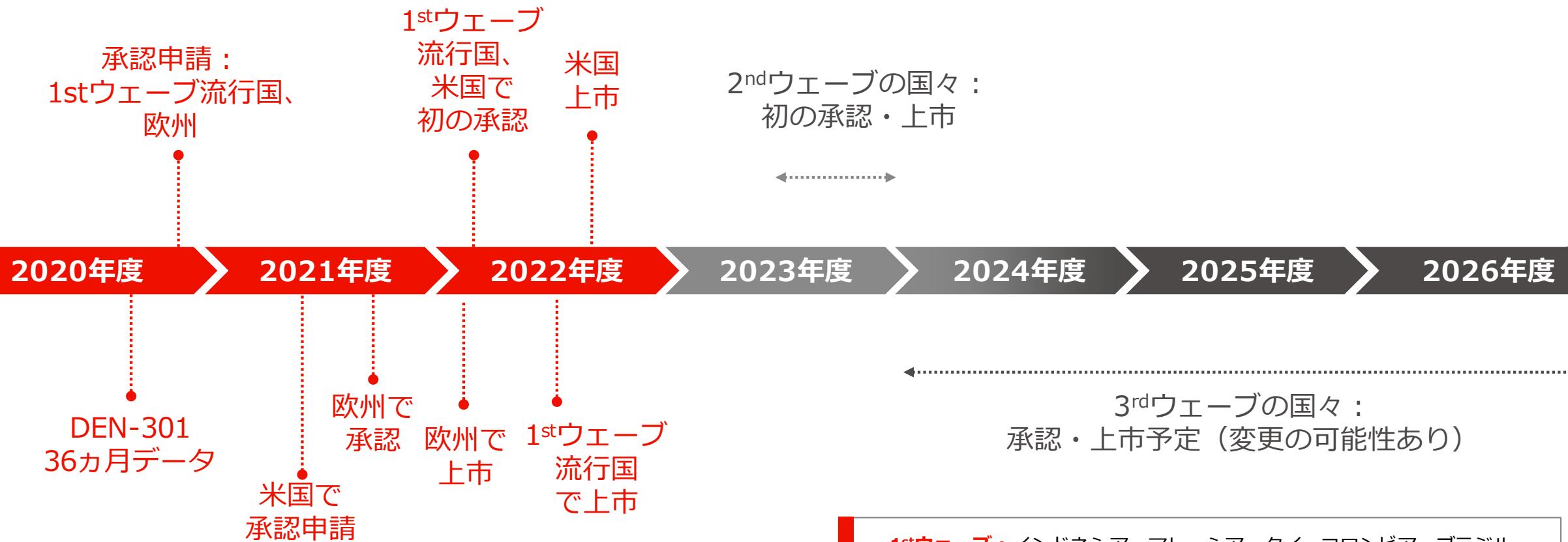
被験者の過去のデ
ングウイルス感染
歴の有無に関係な
く、両被験者集団
において同程度の
有効性が示された¹
観察された有効性
は継続的にデング
ウイルスの血清型
により異なった¹



被験者における忍
容性は良好¹

TAK-003の2回目
接種後24カ月まで
の強固な安全性¹

予定されるマイ尔斯トン



- **1stウェーブ :** インドネシア、マレーシア、タイ、コロンビア、ブラジル、メキシコ、シンガポール、スリランカ、アルゼンチン、米国、複数のEU諸国
- **2ndウェーブ :** カナダ、イスラエル、エクアドル、グアテマラ、パラグアイ、ペルー、コスタリカ、エルサルバドル、パナマ、ニカラグア、フィリピン、香港、オーストラリア、ベトナム
- **3rdウェーブ :** キューバ、ホンジュラス、ベネズエラ、中国、インド

1

新規デング熱ワクチンに対する喫緊の需要に応えるため、当社は年間5千万回以上接種分の生産能力を構築

2

流行国（Article 58）、
欧州および米国において、
2021年に最初の
承認申請予定

3

デング熱ワクチン市場は
2029年までに
年間15～20億米ドルに
達すると推定¹

本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 – 17:10	07:00 – 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 – 17:25	07:10 – 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 – 17:35	07:25 – 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルレポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 – 18:05	07:35 – 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 – 18:35	08:05 – 08:35	TAK-003 Deep Dive： Dengue熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 – 19:15	08:35 – 09:15	Q&Aセッション

付録1：Wave 1パイプライン・サマリー

付録2：疫学データ

付録3：臨床試験の概要

本日のスピーカー



クリストフ・
ウェバー
代表取締役社長 CEO



アンディー・プランク
リサーチ&デベロップメント
プレジデント



ラモナ・セケイラ
US ビジネスユニット
プレジデント &
グローバルポートフォリオ
コマーシャライゼーション
プレジデント



マイク・ニーダム
グローバルプロダクト&
ローンチストラテジー
TAK-721グローバル
プログラムリード



ラジーヴ・
ヴェンカヤ
グローバルワクチン
ビジネスユニット
プレジデント

Q&A対応者



コスタ・
サルウコス
チーフ フィナンシャル
オフィサー



テレサ・ビテッティ
グローバル オンコロジー
ビジネスユニット
プレジデント

付録1 Wave 1パイプライン・サマリー



作用機序

エクソン20挿入変異特異的EGFRチロシンキナーゼ阻害剤

アンメットニーズ

EGFRエクソン20挿入変異を有する患者さんに対する既承認の標的療法はない

- 既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤はエクソン20挿入変異を治療するデザインではない
- 現在の治療法には、化学療法、既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤およびがん免疫療法があるが、いずれもすべての治療ラインにおいてPFS中央値は6カ月未満
- エクソン20挿入変異を有する患者さん集団にとっての最大のアンメットニーズは、許容可能な副作用プロファイルで生存期間を改善する標的治療

主要データ

EGFRエクソン20挿入変異を有する非小細胞肺がんの2次治療以降でのmobocertinibの臨床第1/2相試験は、ITT集団で確定奏効率43%、奏効期間13.9カ月、PFS中央値7.3カ月と有望な結果を示した

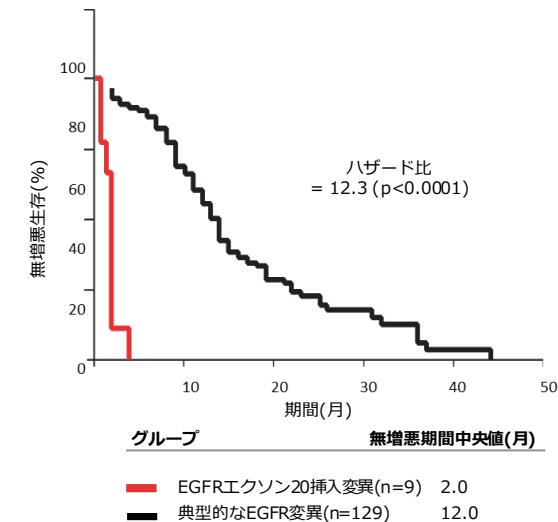
市場機会

グローバルにおいて、非小細胞肺がんの1~2%がEGFRエクソン20挿入変異を有する（米国で約4千人、全世界で2~3万人）

開発状況とマイルストン



既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤は
EGFRエクソン20挿入変異に対して
有意なPFSの改善を認めない



- 再発/難治性患者さんを対象としたPh1/2 EXCLAIM試験（シングルアーム）は、2020年度の初回申請をサポートする可能性
- 一次治療を対象とした臨床第3相試験 EXCLAIM-2試験（化学療法比較）は、現在患者さん登録中
- EGFRエクソン20挿入変異コンパニオン診断について、米国/日本/欧州でThermo Fisher、中国でAmoy Diagnosticsと提携

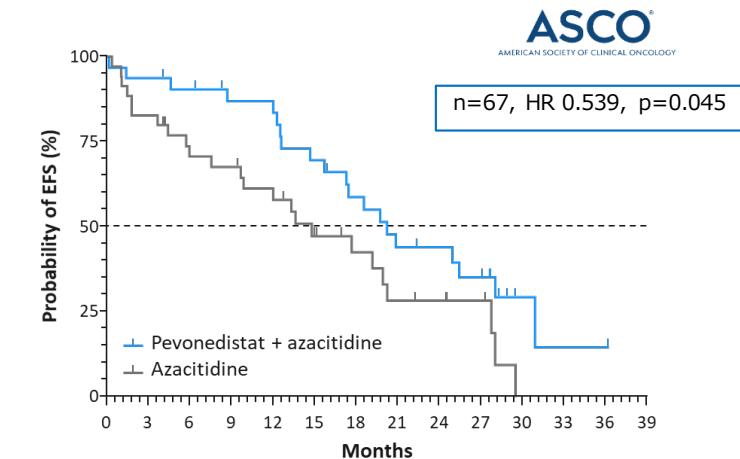
PEVONEDISTAT (TAK-924)

ODD BTD

高リスク骨髓異形成症候群 (HR-MDS) において10年以上ぶりの新規治療薬となる可能性

作用機序	NEDD8活性化酵素 (NAE) 阻害薬
アンメットニーズ	<p>HR-MDS患者さんの予後は不良であり、QoLの低下、高い確率での急性骨髓性白血病 (AML)への移行を経験し、治療選択肢は限定的</p> <ul style="list-style-type: none">治療アウトカムは不良であり、現在ある治療選択肢では依然として死亡率は高い 生存期間中央値は、HR-MDSで12~15ヶ月であり、AMLでは10~15ヶ月支持療法の大きな経済的負担：入院が一般的であり、多くの患者さんは輸血に依存
主要データ	<p>HR-MDS : pevonedistatとアザシチジンの併用は、全生存期間 (OS) 、無イベント生存期間 (EFS) 、完全寛解 (CR) 、輸血非依存を含む臨床的意義がある複数の評価項目で効果を示し、安全性プロファイルはアザシチジン単剤と同様</p> <ul style="list-style-type: none">アザシチジンにpevonedistatを追加すると、完全寛解 (CR) 率が2倍 (51.7% vs 26.7%) になり、全生存期間 (OS) および無イベント生存期間 (EFS) も改善する可能性 <p>非適応のAML : 臨床第1b相試験における高齢者AMLに対する有望な臨床成績</p> <ul style="list-style-type: none">全生存率60%、二次性AMLの生存率の改善傾向
市場機会	1L HR-MDS : 米国では約7千人、主要7カ国では1.5~2万人 (移植不適格は約80%) 1L AML : 米国約1.9万人、主要7カ国3.5~4万人 (移植不適格は約50%)
開発状況とマイルストン	<p>PANTHER HR-MDS 臨床第3相試験データ (H2) 2020年度 > 2021年度 > 2022年度 > 2023年度 > 2024年度</p> <p>1L HR-MDS承認 (米国/欧州/日本)</p> <p>PEVOLAM 非適応AML 臨床第3相試験データ 1L 非適応のAML承認</p>

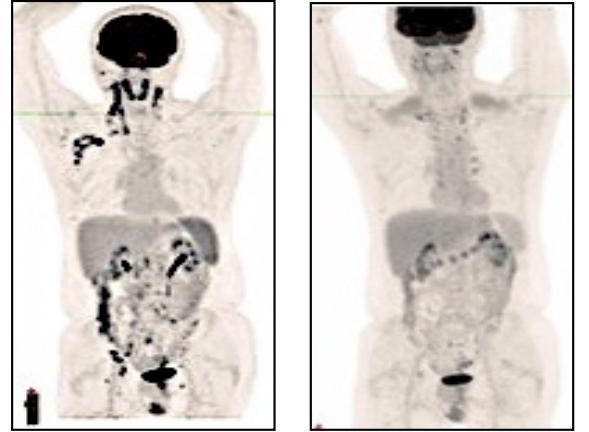
P2001: HR-MDSにおける臨床第2相試験ブルーフォブコンセプト試験



EFS : 無イベント生存期間、
「死亡」または「AMLへの転化」をイベントと定義

- 米国FDAが2020年7月にブレークスルーセラピーに指定
- 中国を含む新興市場における臨床開発の取り組みは、全体的なプログラム戦略に統合
- Pevonedistat、venetoclax、アザシチジン併用試験の患者さん登録を実施中
- その他のAML/MDS対象患者さんにおける追加のpevonedistat併用療法を開発するために、外部提携についても幅広く、戦略的に活用

複数のがん種に対して変革をもたらす既製化（OFF THE SHELF）細胞療法となる可能性

作用機序	CD19 CAR-NK細胞療法	Ph1/2データ：47歳男性、再発のダブルヒット(C-MYC/BCL-2) DLBCL
アンメットニーズ	<p>有効性に加え、安全性プロファイルが改善された既製化細胞治療に大きなニーズ</p> <ul style="list-style-type: none"> CAR-T療法を受けることのできないCD19陽性B細胞性悪性腫瘍患者さんの全生存期間中央値は10ヵ月未満 現在のCAR-T細胞療法は数週間の製造工程を必要とし、その投与は専門の移植センターに限定され、サイトカイン放出症候群または神経毒性を含む副作用を伴う 	
主要データ	<p>CD19陽性B細胞性悪性腫瘍を対象とした有望なPh1/2データ、有効性はCAR-T療法に匹敵</p> <ul style="list-style-type: none"> 患者さんの73%が治療に奏効し（11例中8例）、64%で完全奏効（11例中7例）を確認 サイトカイン放出症候群、神経毒性、移植片対宿主病（GvHD）の発生なし <p>治療の総コストが安く輸送が容易なことから、アクセス拡大の可能性</p> <ul style="list-style-type: none"> 既製化（Off the shelf）療法は遅滞なく患者さんの治療することができ、外来での投与が可能で、輸送負担の軽減や医療資源の利用とコストの低減につながる 	 <div style="display: flex; justify-content: space-around;"> ベースラインスキャン CAR19-NK後30日目 </div>
市場機会	<p>3L+ DLBCL、CLL、iNHL：米国約9千人、主要7ヵ国：1.5～2.5万人 2Lへの適応拡大、CAR-NKプラットフォームを他のがん種へ拡大する可能性</p>	Dr. Katy Rezvani氏（MDアンダーソンがんセンター）のデータ
開発状況とマイルストン	<p>3L+ DLBCL、CLL、iNHL ピボタル試験開始</p> <p>2020年度 > 2021年度 > 2022年度 > 2023年度 > 2024年度</p> <p>凍結保存プロセスの バリデーション</p> <p>3L+ DLBCL、CLL、iNHL 承認</p>	<ul style="list-style-type: none"> 2Lへの適応拡大、CAR-NKプラットフォームを他のがん種へ拡大する可能性

移植後のCMV感染症患者さんに対し、この10年以上で初めて承認される可能性のある治療薬

作用機序	Maribavirは、抗サイトメガロウイルス（CMV）活性を有する経口ベンゾイミダゾールリボシドであり、プロテインキナーゼUL97 ¹⁻⁷ の抑制を介してウイルスカプシドの核からの放出を阻害	Clinical Infectious Diseases ⁶ 誌に掲載された 2L R/R CMVの臨床第2相試験データ						
アンメットニーズ	既存治療は移植後のCMV感染症治療では承認されておらず、入院を必要とする重度の毒性および耐性発現により、臨床的有用性は著しく制限 <ul style="list-style-type: none"> 既存の標準治療は、一次治療：valganciclovirおよびganciclovir、二次治療：foscarnetおよびcidofovir。いずれも移植後のCMV治療としては承認されておらず、重度の毒性（骨髄抑制および腎毒性）を有する CMVの予防療法が米国（2017年）、欧州（2018年）、日本（2018年）で承認。適応は高リスクHSCT（造血幹細胞移植）患者さんのCMV予防に限る（固体臓器移植に適応なし） 	全体： 67%の有効性 → 過去のアウトカム（約50%）を上回る大幅な改善 ⁸⁻¹¹ 良好な安全性プロファイル → 腎毒性および骨髄抑制による治療中止なし						
主要データ	<ul style="list-style-type: none"> 移植後のCMV患者さんを対象とした予防治療（一次治療）の臨床第2相試験において、TAK-620は標準治療（valganciclovir）と比較して骨髄抑制発現率が低く同程度の有効性を示した 再発・難治性（R/R）の移植後CMV患者さんを対象とした臨床第2相試験では、maribavirは≥400mg、1日2回投与で活性を示し、新たな安全性シグナルは確認されず 	NEJM ¹⁰ 誌に掲載された1L CMVの臨床第2相試験データ						
市場機会	<ul style="list-style-type: none"> 4.6万人超の患者さんがCMV感染症を経験（米国：1.4万人） 2万人超の患者さんが治療制限に繋がる毒性または再発性CMV感染症を経験（米国：6千人） 1万人超の患者さんで一次標準療法が無効で、標準療法に対して再発・難治性となる 	有効性評価項目： 6週間以内のCMV DNAのクリアランス						
開発状況とマイルストン	<p>R/R臨床第3相試験 データ読み出し (H2) 2020年度</p> <p>R/R承認 (米国) 2021年度</p> <p>R/R承認 (欧州) 2022年度</p> <p>2023年度</p> <p>2024年度</p> <p>1L 臨床第3相試験 データ 読み出し</p> <p>1L承認 (米国)</p> <p>1L承認 (欧州)</p>	Maribavir Valganciclovir <table border="1"> <tbody> <tr> <td>CMVのクリアランス</td> <td>79%</td> <td>67%</td> </tr> <tr> <td>好中球減少症の発現率</td> <td>6%</td> <td>22%</td> </tr> </tbody> </table> <ul style="list-style-type: none"> 303試験：前治療に抵抗性または難治性のCMV感染症を有するHSCTおよびSOT患者さんを対象とした、maribavirの治験責任医師が割り付けた治療に対する多施設共同無作為化実薬対照非盲検試験 302試験：治療歴のないHSCT実施患者さんにおける初回CMV感染の先制治療を対象とした、maribavirのvalganciclovirに対する多施設共同無作為化二重盲検非劣性試験 	CMVのクリアランス	79%	67%	好中球減少症の発現率	6%	22%
CMVのクリアランス	79%	67%						
好中球減少症の発現率	6%	22%						

1. Chou S, Marousek GI. J Virol. 2008;82:246-53;

2. Chou S. Curr Opin Infect Dis. 2015;28:293-9;

3. Krosky PM, et al. J Virol. 2003;77:905-14;

4. Maertens J, et al. N Engl J Med. 2019;381:1136-47;

5. Papanicolaou GA, et al. Clin Infect Dis. 2019;68:1255-64;

6. Prichard MN. Rev Med Virol. 2009;19:215-29;

7. Clin Infect Dis. 2019 Apr 8;68(8):1255-1264

8. Antimicrob Agents Chemother. 2014;58:128-35

9. Mehta et al, 2016 American Transplant Congress, Meeting abstract C279

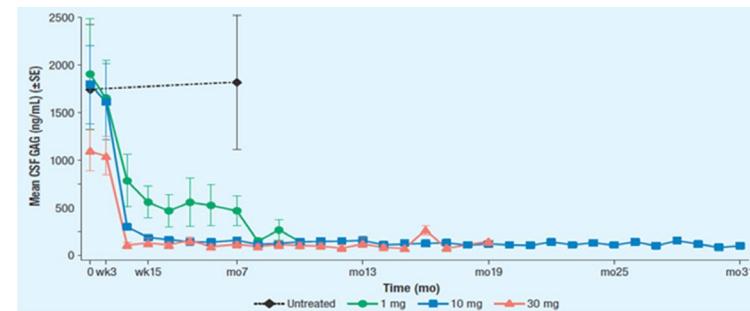
10. J Heart Lung Transplant. 2019;Vol.38,Issue 12;p.1268-1274

11. N Engl J Med 2019; 381:1136-47

米国/欧州におけるハンター症候群患者さんの認知機能障害に対する初めての治療薬となる可能性

作用機序	血液脳関門を回避するために外科的に埋め込まれたポートを介し、中枢神経に直接髄腔内注入するよう設計された遺伝子組換えヒトイズロン酸-2-スルファターゼ
アンメットニーズ	<p>大多数のハンター症候群患者さん（約60%）が認知機能に影響を受けているため、治療薬に対するアンメットニーズは非常に高い</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ イズロン酸-2-スルファターゼの欠損は、中枢神経系内の細胞や組織の機能に影響を及ぼすグリコサミノグリカン（GAG）の蓄積を引き起こし、進行性の認知能力低下を引き起こす可能性。現在の治療薬は血液脳関門を通過できないため、認知機能の悪化に対処できない ・ TAK-609は、ハンター症候群における認知機能低下を止める/軽減する、Elapraseに対する最初のアドオン療法となる
主要データ	<ul style="list-style-type: none"> ・ 2017年12月、ピボタル試験でCSF GAGの著しい低下（△74%）が示されたにもかかわらず、主要評価項目および副次評価項目のいずれも達成できず。 アドホック分析では、6歳未満で治療を開始した患者さんで有効である可能性を示した ・ TAK-609の長期投与時の安全性および臨床アウトカムをさらに評価するため、非盲検の臨床第2/3相試験が進行中（投与症例49例、clinicaltrials.govへのリンク）
市場機会	<ul style="list-style-type: none"> ・ 出生男児の10~17万人に1人がハンター症候群に罹患（米国：約600人、販売地域¹：約4,600人）。ハンター症候群の3分の2は中枢神経症状を呈する ・ グローバル市場規模は約745~780百万米ドル²
開発状況とマイルストン	<p>2020年度 > 2021年度 > 2022年度 > 2023年度 > 2024年度</p> <p style="text-align: center;">↑ 承認（米国） ↑ 承認（欧州）</p>

脳脊髄液内グリコサミノグリカンの低下



ハンター症候群における酵素欠損により蓄積する代謝産物は、未治療患者さんのGAG濃度の範囲（黒点線）と比較して、治療により低下

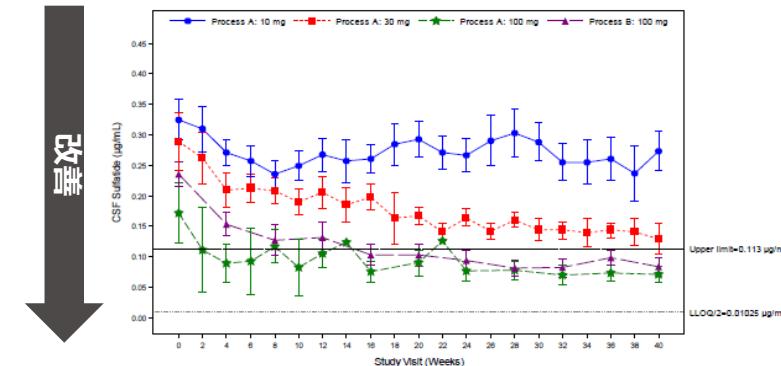
出所：治験総括報告書試験SHP-609-094/302試験（3年データ）

- ・ **HGT-HIT-094**：ハンター症候群および早期認知障害を有する小児患者さんを対象とした、Elaprase®と併用して投与した髄腔内イデュルスルファーゼの無作為化2群間比較対照オープンラベル評価者盲検多施設共同試験
- ・ **SHP609-302**：ハンター症候群および認知機能障害を有する患者さんを対象にElaprase®と併用して投与した髄腔内イデュルスルファーゼの長期安全性および臨床アウトカムを評価するHGT-HIT-094試験のオープンラベル延長試験

症候性の遅発性乳児型異染性白質ジストロフィー（MLD）の急速な進行を止める唯一の治療薬となる可能性

作用機序	血液脳関門を介さず、外科的に埋め込まれたポートから中枢神経に直接髄腔内注入するよう設計された遺伝子組換えヒトアリールスルファターゼA (rhASA)
アンメットニーズ	<p>これまで治療法が存在しないため、疾患進行を緩やかにし、遅延、あるいは進行を止める可能性のある治療法に対するアンメットニーズが非常に高い</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 異染性白質ジストロフィー（MLD）の特徴は、発達遅滞、運動機能の低下、認知機能障害、および麻痺や早期死亡につながる視神經萎縮 <ul style="list-style-type: none"> ・ 遅発性乳児型の患者さん（有病者の50～60%）は急速な運動機能低下を示し、発症から5年以内に死亡に至る ・ 現在の標準治療は、緩和ケア、症状管理のような、強力とはいえない選択肢のみ
主要データ	<p>臨床第1相試験（IDEAMLD）では、小児12例中2例に運動反応が認められ、脳脊髄液中に蓄積したスルファチドが用量依存的に減少。運動機能低下は、自然経過に対して1.5～2年遅延。最高用量（100mg、隔週投与）で治療した2例は、5～6歳までほとんどの運動機能を維持</p> <p>臨床第2相試験（EMBOLDEN）では、現在、150mg/週の用量で患者さん登録が行われており、2022年度にトップラインデータ（速報）が得られる見込み</p>
市場機会	<p>出生数10万人あたり0.7～1.4人、有病者数は米国で約325～450人、全世界で約1.1万人（全体で約2千人に到達できる）。近い将来、MLD患者さんは、ex-vivo遺伝子治療薬OTL-200（Libmeldy）（EUCANにおいて、2.5-3百万ユーロの価格帯で2021年度上期上市予定¹⁾）およびTAK-611を使用できる可能性がある。グローバル市場規模はおよそ500～600百万米ドル</p>
開発状況とマイルストン	<p>臨床第2b相試験データの読み出し</p> <p>2020年度 > 2021年度 > 2022年度 > 2023年度 > 2024年度</p> <p>承認（米国） 承認（欧州）</p> <ul style="list-style-type: none"> • <u>IDEAMLD</u>：小児MLD患者さんに髄腔内薬物送達装置を介して隔週で計38週間投与、最大3用量のTAK-611（HGT-1110）の安全性を評価するようデザインされた多施設共同、非盲検、用量漸増試験 • <u>EMBOLDEN</u>：遅発性乳児型MLD患者さんを対象としたTAK-611髄腔内投与の国際共同、多施設共同、非盲検、対応するヒストリカルコントロール試験

TAK-611により神経毒性のあるスルファチド類が減少



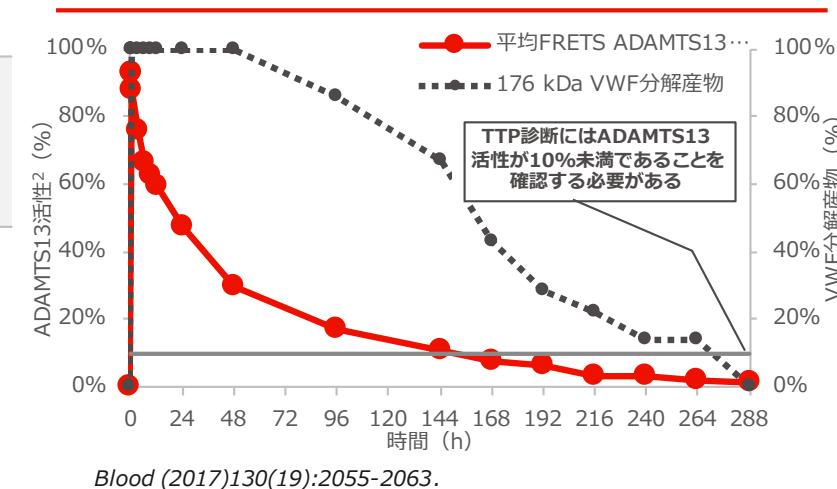
スルファチドのクリアランスには、細胞による取り込みと酵素の酸性リソソームへの移動と活性化が必要。従って、毒性スルファチドの減少は、TAK-611がオリゴンドロサイトに取り込まれ、リソソームで活性化されることを示している。

出所：治験総括報告書HGT-MLD-070/071試験(40週間データ)

cTTPとiTTPにおいて変革をもたらす治療薬となる可能性

作用機序	血栓性血小板減少性紫斑病（TPP）にみられる、異常に高いフォン・ヴィレブランド因子の活性を低下させることを目的とした、遺伝子組換えADAMTS13酵素補充療法
アンメットニーズ	<ul style="list-style-type: none"> 標準治療である、オンデマンドあるいは定期補充による血漿注入は大きな負担。標準治療を受けた多くの症例で、補充したADAMTS13は、十分な値に到達できない 血漿療法への依存度減少および短期・長期での病態改善が主要なバリュードライバー
主要データ	<p>先天性TTP（cTTP）および免疫性TTP（iTTP）で開発中の、初めてかつ唯一の遺伝子組換えADAMTS13酵素補充療法</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床第1相試験では、VWF多量体、血小板数、血清LDHへの影響など、生体でのTAK-755活性のエビデンスを示した。TAK-755の忍容性は良好で、重篤な有害事象の発現はなく、抗ADAMTS-13抗体も認められず TAK-755は、血漿注入で達成できる値の3~5倍のADAMTS13の補充を可能とし、その結果、正常範囲における最高血漿中レベルを達成
市場機会	<p>先天性TTP：全世界で約1人/100万人、治療患者さん：米国500人未満、全世界2.5千人 免疫性TTP：全世界で約10人/100万人、発生数：米国2.5千人未満、全世界：約1.4万人 鎌状赤血球症：米国で約10万人、欧州で約15万人</p>
開発状況とマイルストン	<p>iTTP臨床第2相 試験データの読み出し</p> <p>cTTP臨床第3相 試験データの読み出し</p> <p>iTTP臨床第3相 試験データの読み出し</p> <p>2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度 → 2025年度</p> <p style="text-align: center;">cTTP 承認（米国） cTTP 承認（欧州/日本）</p>

TAK-755 40IU/KGでの薬物動態プロファイルとVWF分解の薬力学的作用



- TAK-755治療は、高いフォン・ヴィレブランド因子（VWF）活性および/あるいはADAM-13活性の低下と関連する他の疾患において有益である可能性。TAK-755は鎌状赤血球症の適応でも臨床第1/2相試験を実施中
- 臨床第3相試験：重度のcTTP患者さんを対象とした定期補充療法およびオンデマンド療法におけるTAK-755 (rADAMTS13) の安全性および有効性を評価する前向き無作為化対照非盲検多施設共同試験
- 臨床第2相試験：後天性TTP (aTTP) 患者さんを対象とするTAK-755の薬物動態、安全性および有効性を検討した多施設共同無作為化プラセボ対照二重盲検試験

SOTICLESTAT (TAK-935)

希少てんかん症候群における発作コントロールを改善する
ファースト・イン・クラスのコレステロール24-ヒドロキシラーゼ (CH24H) 阻害剤

ODD in DS

ODD in LGS

作用機序
コレステロール24-ヒドロキシラーゼ (CH24H) 阻害剤
アンメットニーズ
<p>発達性およびてんかん性脳症 (DEE) は、複数の抗てんかん薬に対して高い治療抵抗性を示し、FDA承認の治療法はほとんどない</p> <ul style="list-style-type: none">患者さんの50%以上が治療抵抗性のけいれんに苦しんでおり、発達または認知の遅れ、意思疎通および行動上の課題、ならびにSUDEP¹の危険性も呈する
主要データ
<p>臨床第2相試験 (ELEKTRA) では、ドラベ症候群 (DS) における高い有効性およびレノックス・ガストー症候群 (LGS) での数値的な減少を示した</p> <ul style="list-style-type: none">忍容性は良好で、安全性プロファイルは、これまでの試験の結果と同様で、新たに安全性で留意すべき点は確認されずDSコホートにおけるけいれん発作頻度の統計学的に有意な減少LGSコホートにおける転倒発作頻度の数値的な減少
市場機会
<ul style="list-style-type: none">DEE³の対象患者さんは米国で約5万人DEEの主要なグローバル市場の対象患者さんは約7~9万人
開発状況とマイルストン
<ul style="list-style-type: none">規制当局相談を実施後、DSおよびLGSを対象とした臨床第3相試験を開始予定

1. SUDEP: てんかんにおける予期せぬ突然死

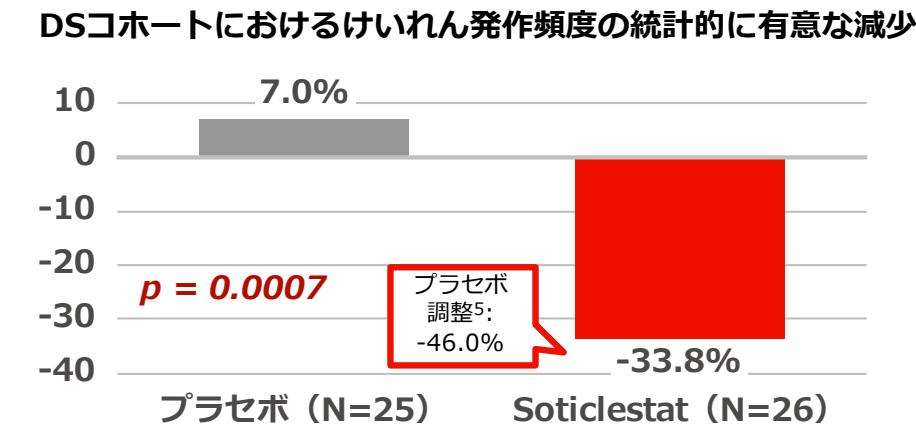
2. 当社とOvid Therapeutics社は、soticlestatの開発・商業化費用を分担しており、成功した場合は利益を折半

3. DEE: 発達性脳症およびてんかん性脳症

4. mITT: 修正intent-to-treat

5. Hodges-Lehmann推定に基づく両群間の%変化の差の中央値

全治療期間20週間にわたる発作頻度の減少 (mITT)⁴



LGSコホートにおける転倒発作頻度の数値的な減少



- Ovid Therapeutics²との共同開発

オレキシン2受容体作動薬 (TAK-925/TAK-994)

ナルコレプシータイプ1 (NT1) をはじめとする睡眠障害の治療において変革をもたらす可能性

ODD

BTD

FTD

SKG

作用機序

オレキシン2受容体 (OX2R) 作動薬

現在の治療法はNT1患者さんの病因であるオレキシン欠乏症に対処していない

- 基本的な治療法としては、日中の過度の眠気 (EDS)¹に対する覚醒促進薬/刺激薬、情動脱力発作 (カタプレキシー) に対する抗うつ薬、夜間睡眠障害に対する鎮静薬の併用
- 治療を受けているにもかかわらず、90%を上回る患者さんがEDS¹を経験し、半数が自宅、学校、職場での日常生活に問題が生じるカタプレキシーを有する²
- TAK-925投与ではカタプレキシー発生なし：静脈投与でオレキシン2受容体作動薬 (OX2R) TAK-925を投与された患者さんでは、投与中にカタプレキシーは確認されず³
- さらに、NT1とNT2⁵の患者さんにおいて、投与7日目のMWT⁴で効果を確認
- NT1、NT2、交代勤務睡眠障害におけるTAK-925のPOCデータを公表。IH⁶およびOSA⁶のデータは今後公表予定

アンメットニーズ

主要データ

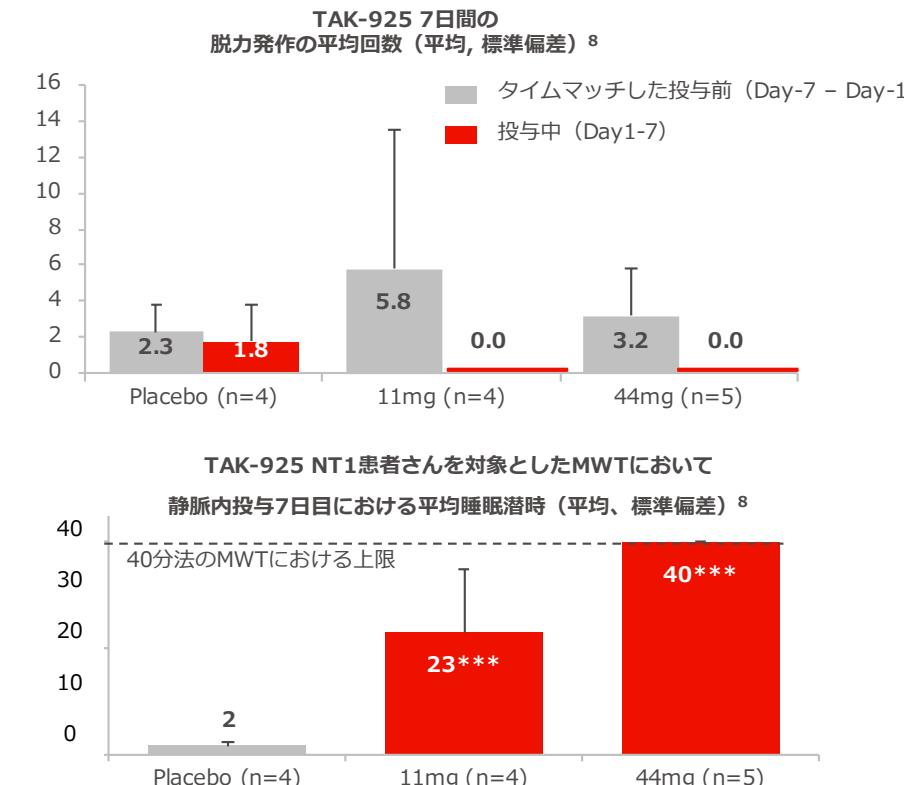
市場機会

開発状況とマイルストン

NT1：全世界の有病率は1万人あたり2~6人、米国では成人の総有病者数は約13.5万人、主要市場（米国、欧州主要5カ国、日本、中国）⁷では約70万人

- 初の経口OX2R作動薬であるTAK-994は、NT1およびNT2患者さんに対する臨床第2相試験の被験者登録中。最終データの目標時期は2021年度下期を想定
- 2つ目の経口OX2R作動薬であるTAK-861の臨床試験を、2020年度下期に開始予定

NT1におけるブルーフォブコンセプト試験：7日間反復投与³



主な適応症はNT1である。覚醒が求められ、かつ・あるいは、オレキシンがその病態生理に関連している、ナルコレプシータイプ2、特発性過眠症などの疾患での、OX2R作動薬のその他の病態における使用について検討を継続

1. EDS: 日中の過度の眠気

2. Maski, K et al. 2017. J Clin Sleep Med. Mar 15; 13(3): 419-425

3. 2020年9月22日～24日に開催された欧州睡眠学会2020 Virtual Congressで発表

4. MWT: 覚醒の持続を評価する試験

5. NT2: ナルコレプシータイプ2

6. IH: 特発性過眠症、OSA: 閉塞性睡眠時無呼吸症候群

7. 一般的に、診断には5～15年かかる

8. 観察された平均値および標準偏差 ***: ブラセボと比較してp値<0.001

好酸球性食道炎に対する初のFDA承認治療薬となるべく予定どおりに進捗中

作用機序

好酸球性食道炎（EoE）に対する経口ブデゾニド粘稠性懸濁液

アンメットニーズ

好酸球性食道炎に対して米国で承認された薬剤はない

- 好酸球性食道炎はしばしば嚥下障害 “dysphagia”や胸やけを引き起こし、青年期の患者さんではしばしば嘔吐や消化管の痛みを生じる。患者さんは食事に関する社会環境を避けるようになるため、身体的、精神的に大きな負担となりうる
- 標準治療は、食物除去、プロトンポンプ阻害薬の適応外使用、ステロイド¹
- 疾患に対する認識の低さ、症状の曖昧さ、および症状を隠すという患者さんの適応行動のために、診断に長い時間を要することがしばしばある

主要データ

成人および青年期を含む最大規模のグローバルなEoE臨床試験プログラム

- 12週間のピボタル試験（301試験）では、プラセボに比較して統計学的に有意な組織学的および症状の改善が示された

市場機会

米国で患者さん数15万人以上と急速に増加中

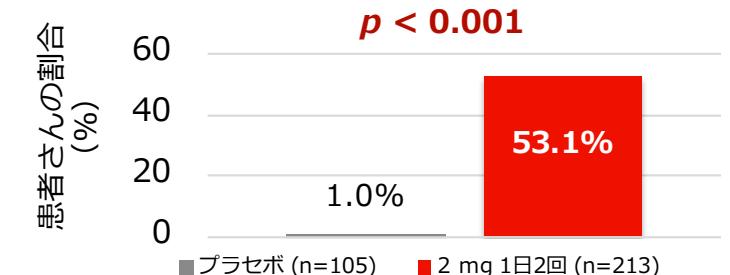
開発状況とマイルストン



12週データは顕著な組織学的および症状の改善を示す

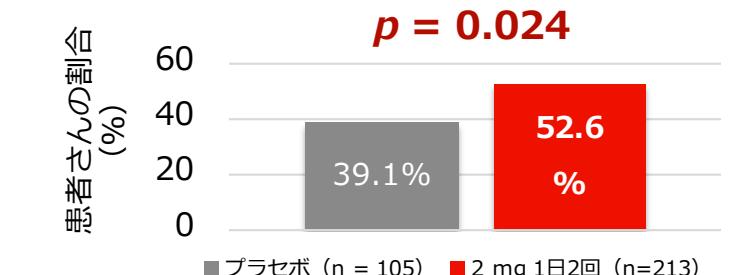
12週時点での組織学的改善率

(生検組織の好酸球が強拡大視野あたりピークで6個以下)



12週時点での症状改善率

(DSQスコア³の30%以上の低下)



TAK-003

過去最悪のペースで感染拡大する蚊媒介性ウイルス疾患であるデング熱への有力なアプローチ

作用機序	弱毒生2型デングウイルスをベースとした四価デング熱ワクチン候補	TAK-003臨床第3相試験データ: 24カ月の追跡調査 ⁵	
アンメットニーズ	<ul style="list-style-type: none"> デング熱は100カ国以上で流行、毎年の推定感染者数は3億9千万人¹ 重症型デング熱は、一部のアジアおよびラテンアメリカ諸国において重篤疾患および死亡の主要原因²。デング熱に特化した治療法はなく、対症療法のみである¹ 市販されているワクチンは1種類のみで、接種対象者は9~16歳のデングウイルス感染歴を有する者に限定 	ウイルス学的に確認されたデング熱 (VCD) に対する全般的有効性	72.7% (67.1, 77.3)
主要データ	<p>80.2% : 接種12カ月後の追跡調査時（主要評価項目）における症候性デング熱の予防に対するワクチン有効性 (VE)³</p> <ul style="list-style-type: none"> 90.4% : 接種18カ月後のデング熱関連入院の減少率（副次評価項目）⁴ デングウイルス感染歴の有無にかかわらず同程度の有効性（ベースラインでの血清反応陽性群と血清反応陰性群でそれぞれ有効性76.1%、66.2%）（副次評価項目）⁴ TAK-003は今まで重要な安全性リスクはなく、概ね良好な忍容性を確認^{3,4,5} 	入院VCDに対する全般的有効性	89.2% (82.4, 93.3)
市場機会	<ul style="list-style-type: none"> 流行地域における人口増加により、2080年までにデング熱のリスクにさらされる人口が60億人以上に達する見込み⁶ デング熱への高い関心があり、デング熱疾患の重症化リスクへの認知度も高い 中所得国がデング熱による影響・経済的負担の約90%を被っている^{7,8} 	ベースライン血清反応陰性 ベースライン血清反応陽性	67.0% (53.6, 76.5) 74.8% (68.6, 79.8)
開発状況とマイルストン	<p>臨床第3相試験から得られた36カ月間のデータ (H2)</p> <p>2020年度 > 2021年度 > 2022年度 > 2023年度 > 2024年度</p> <p>欧州で初めて承認 1stウェーブ流行国と 米国での初の承認 2ndウェーブの国々： 最初の承認・発売 3rdウェーブの国々： 承認・発売見込 (2024年度以降)</p>	<p>DENV-1 DENV-2 DENV-3 DENV-4</p> <p>重要な安全性リスクは確認されていない</p> <ul style="list-style-type: none"> TAK-003の安全性および有効性プロファイルを十分に見極めるため、より長期のデータを集積中 追加接種の必要性について、TIDES試験にて評価予定 	

1. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/dengue-and-severe-dengue>

2. Halstead S, Wilder-Smith A. Severe dengue in travelers: pathogenesis, risk and clinical management. *J Travel Med.* 2019;26(7).

3. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children and adolescents. *N Engl J Med.* 2019; Retrieved November 2019

4. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children aged 4–16 years: a randomized, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet.* 2020; doi:10.1016/S0140-6736(20)30414-1

5. Biswal S. Takeda's Tetravalent Dengue Vaccine – Two Years Efficacy Surveillance. Presented at 69th Annual Meeting, American Society of Tropical Medicine and Hygiene; November 2020.

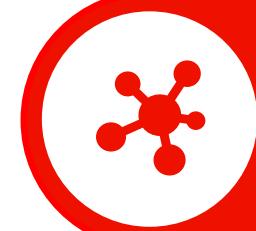
6. Messina, J.P., Brady, O.J., Golding, N. et al. The current and future global distribution and population at risk of dengue. *Nat Microbiol* 4, 1508–1515 (2019). <https://doi.org/10.1038/s41564-019-0476-8>

7. Cases: Supplement to Stanaway JD, Shepard DS, Undurraga EA, et al. The global burden of dengue: an analysis from the Global Burden of Disease Study 2013. *Lancet Infect Dis* 2016; published online Feb 10. [http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099\(16\)00026-8](http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099(16)00026-8). Accessed Jan 14, 2019.

8. Income Classification: World Bank: List of Economies (June 2018). <https://datahelpdesk.worldbank.org/knowledgebase/articles/906519-world-bank-country-and-lending-groups>

付録2 疫学データ





オンコロジー



消化器系疾患



希少遺伝子疾患および血液疾患

疫学データー

NINLARO、ALUNBRIG、ADCETRIS、ICLUSIG



製品	適応症	グローバル 対象患者さん数 (2020年度)	含まれる地域
 NINLARO® (ixazomib) capsules	再発・難治性の多発性骨髓腫（2L+）	約10.5万人 ¹	日本・米国・ 欧州主要5カ国・中国
	ALK陽性非小細胞肺がん	約1.4万人 [中国：約2.5万人以上] ²	日本・米国・ 欧州主要5カ国 ・ [中国]
	ホジキンリンパ腫 - フロントライン、 自家幹細胞移植後の地固め療法、2L+; T細胞リンパ腫 - 末梢性T細胞リンパ腫 および再発・難治性皮膚T細胞リンパ腫	約1.1万人 ³	日本・欧州主要5カ国 ・ 中国
	2L+ 慢性骨髓性白血病、 急性リンパ性白血病	約2.4千人	米国

1. 添付文書で認められた再発難治性 2L+ 多発性骨髓腫の対象患者さん

2. ALK+であることが確認された患者さん

3. 添付文書で認められたCD30+の対象患者さん - 薬事承認されているステージIV/ITT フロントライン患者さんおよび高リスクホジキンリンパ腫を合わせたもの

出所：社内推計



オンコロジー



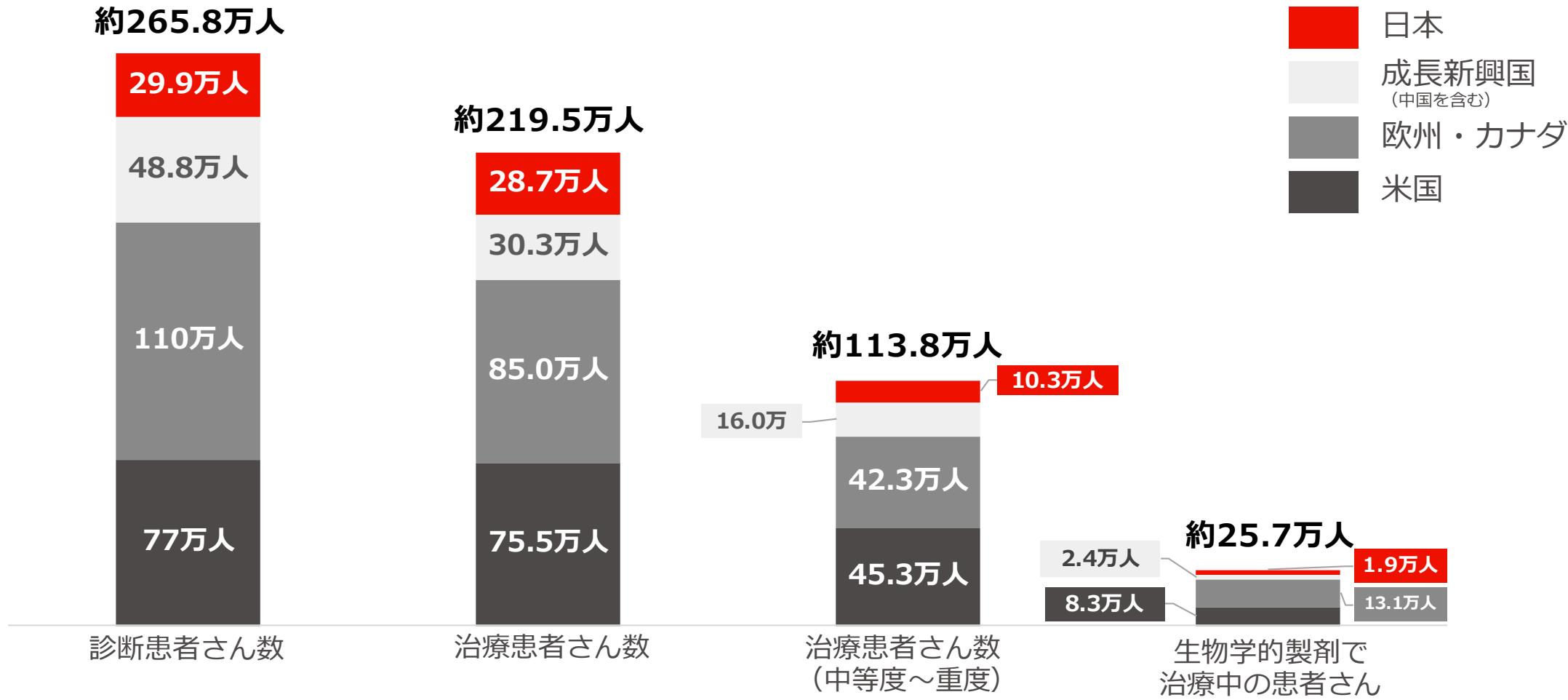
消化器系疾患



希少遺伝子疾患および血液疾患

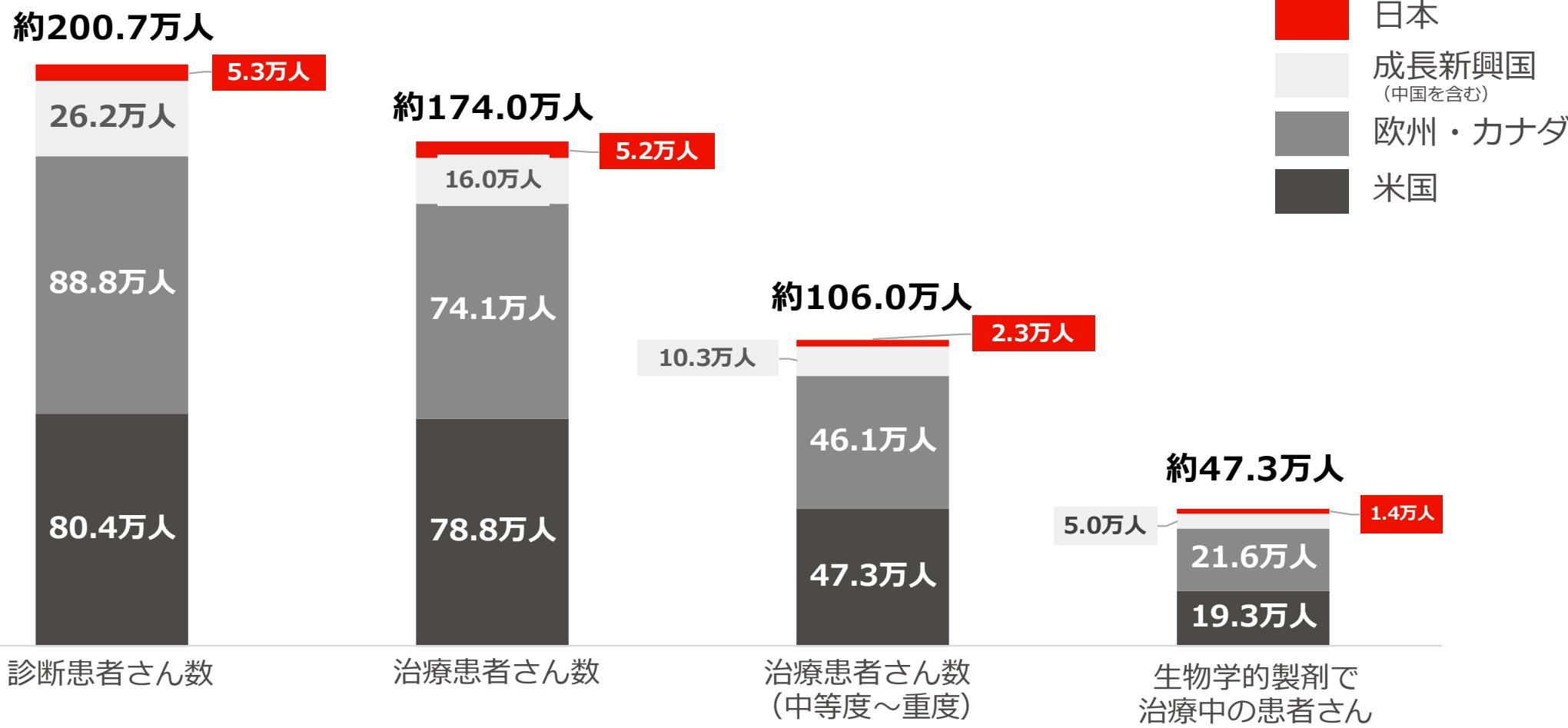
潰瘍性大腸炎（UC）の疫学

Entyvio
vedolizumab



クローン病（CD）の疫学

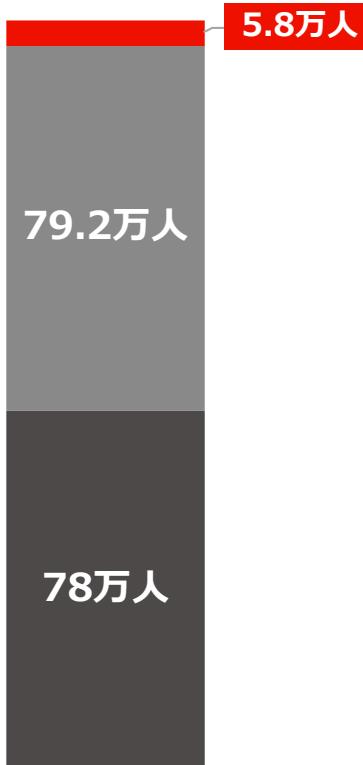
Entyvio
vedolizumab



複合肛門周囲瘻 (CPF) の疫学



約163.0万人



日本

欧州・カナダ

米国

約33.9万人



約19.0万人



クローン病
(CD) 患者さん

肛門周囲瘻
CD患者さん

複雑肛門周囲瘻
(CPF) 患者さん

Alofiselの適応となる
難治性CPF患者さん

短腸症候群（SBS-IF）の疫学 - 成人適応



約2.4万人



米国以外
(主に欧州・カナダ)

米国

約1.1万人



約8千人



約1.7千人



診断患者さん数

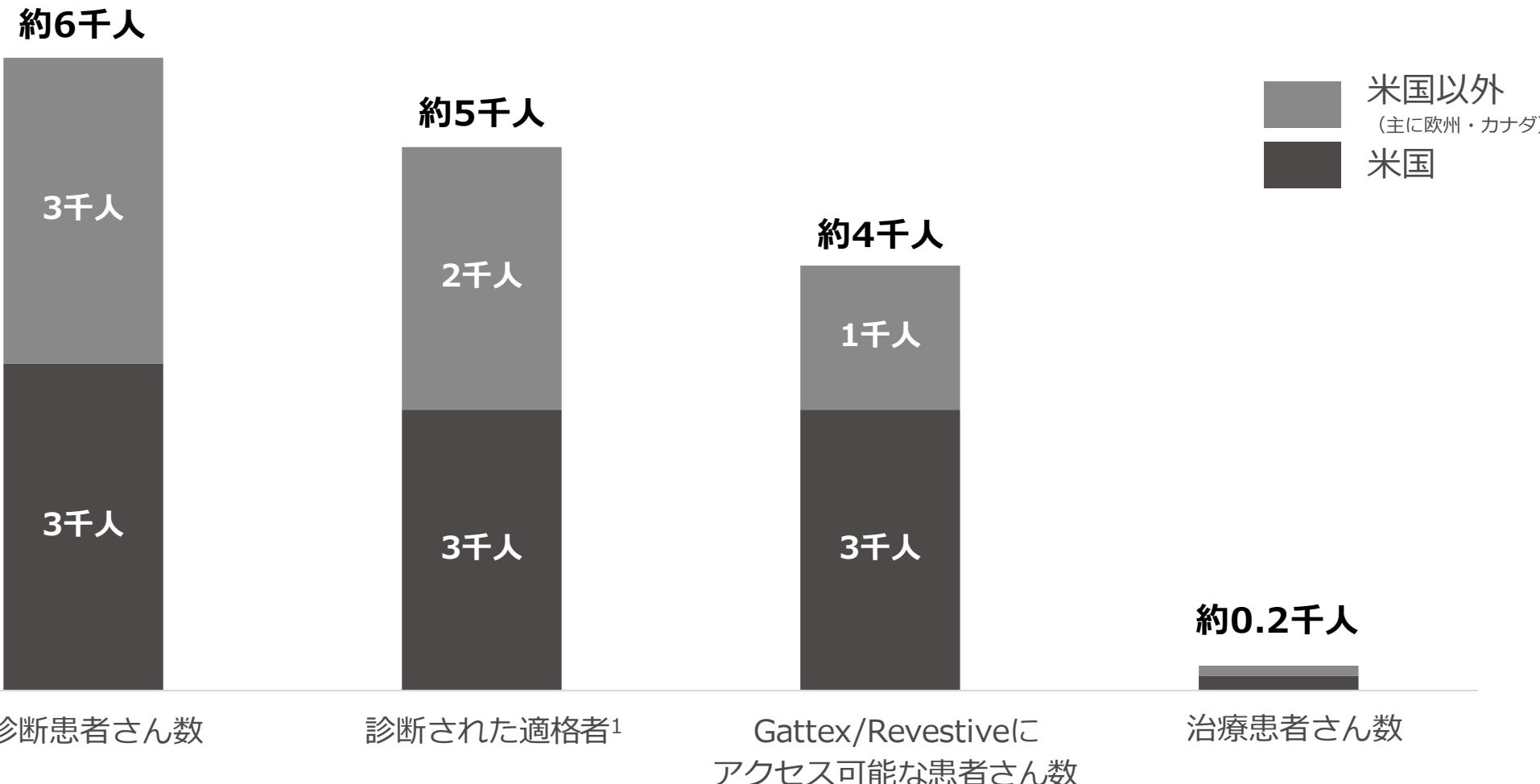
診断された適格者¹

Gattex/Revestiveに
アクセス可能な患者さん数

治療患者さん数

1. Revestive/Gattex 適格患者さん：5年以内に発生した悪性腫瘍によるSBSを除く
出所：社内推計 注：四捨五入された数字

短腸症候群（SBS-IF）の疫学 - 成人適応



1. Revestive/Gattex 適格患者さん：5年以内に発生した悪性腫瘍によるSBSを除く
出所：社内推計 注：四捨五入された数字



オンコロジー



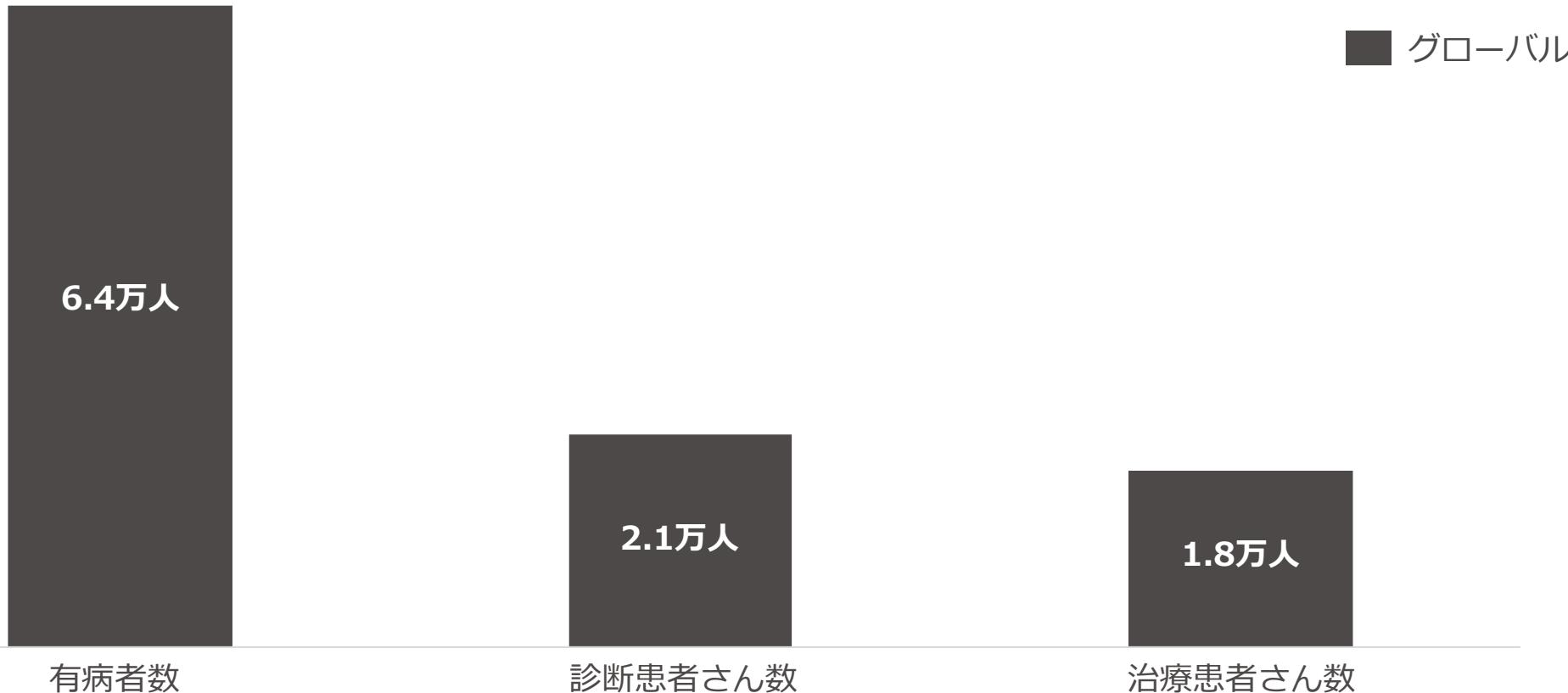
消化器系疾患



希少遺伝子疾患および血液疾患

遺伝性血管性浮腫（HAE）の疫学

TAKHZYRO[®]
(lanadelumab-fflyo) injection



出所：社内推計 注：四捨五入された数字

1. ORE HAE : HAE疫学のグローバル概要 (<http://207.154.195.35/>)
2. 各国で精査された診断患者さん数および治療患者さん数

*含まれる地域：

欧州・カナダ：カナダ、ドイツ、オーストリア、フランス、オランダ、ベルギー、イタリア、英国、スペイン、北欧地域、イスラエル

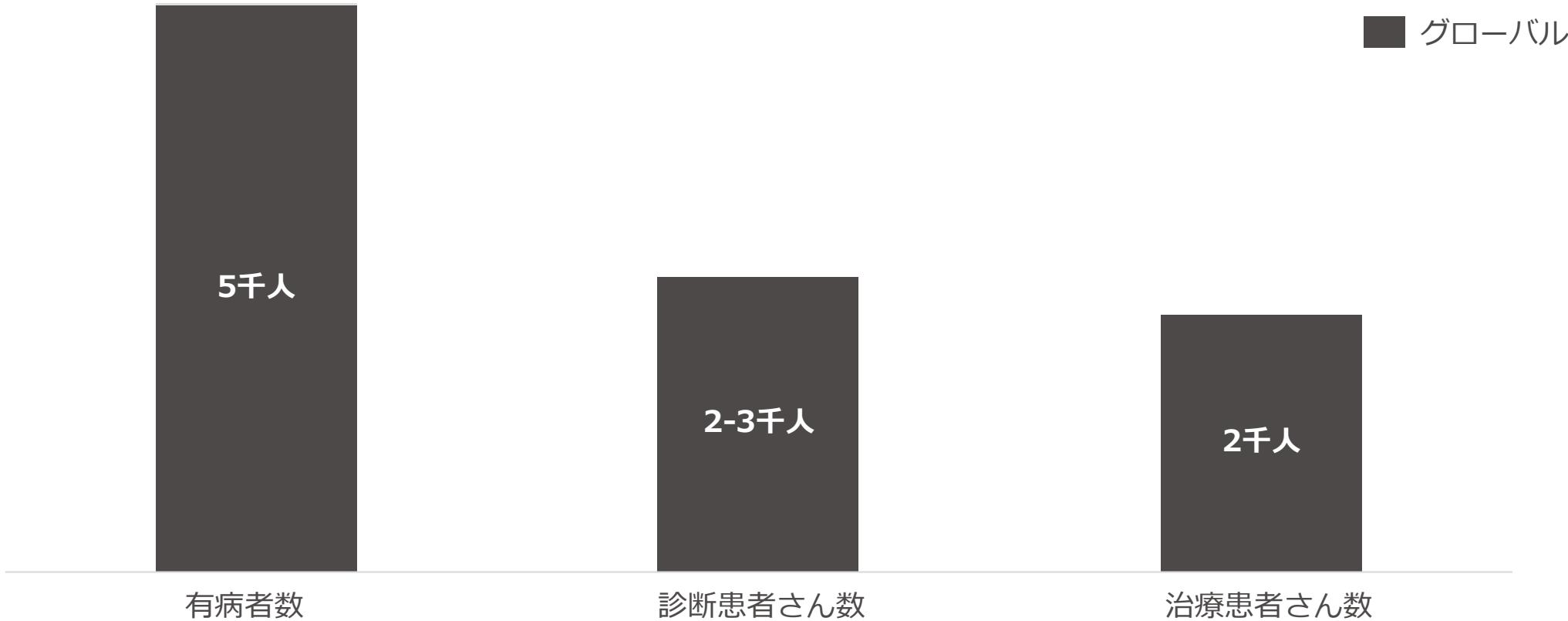
成長新興国：中国、ロシア、オーストラリア、ブラジル、メキシコ、コロンビア、アルゼンチン

ハンター病の疫学： グローバル（インド、中国は含まず）

elaprase[®]
(idursulfase)



ムコ多糖症2型患者さん数



ゴーシエ病の疫学： グローバル（インド、中国は含まず）



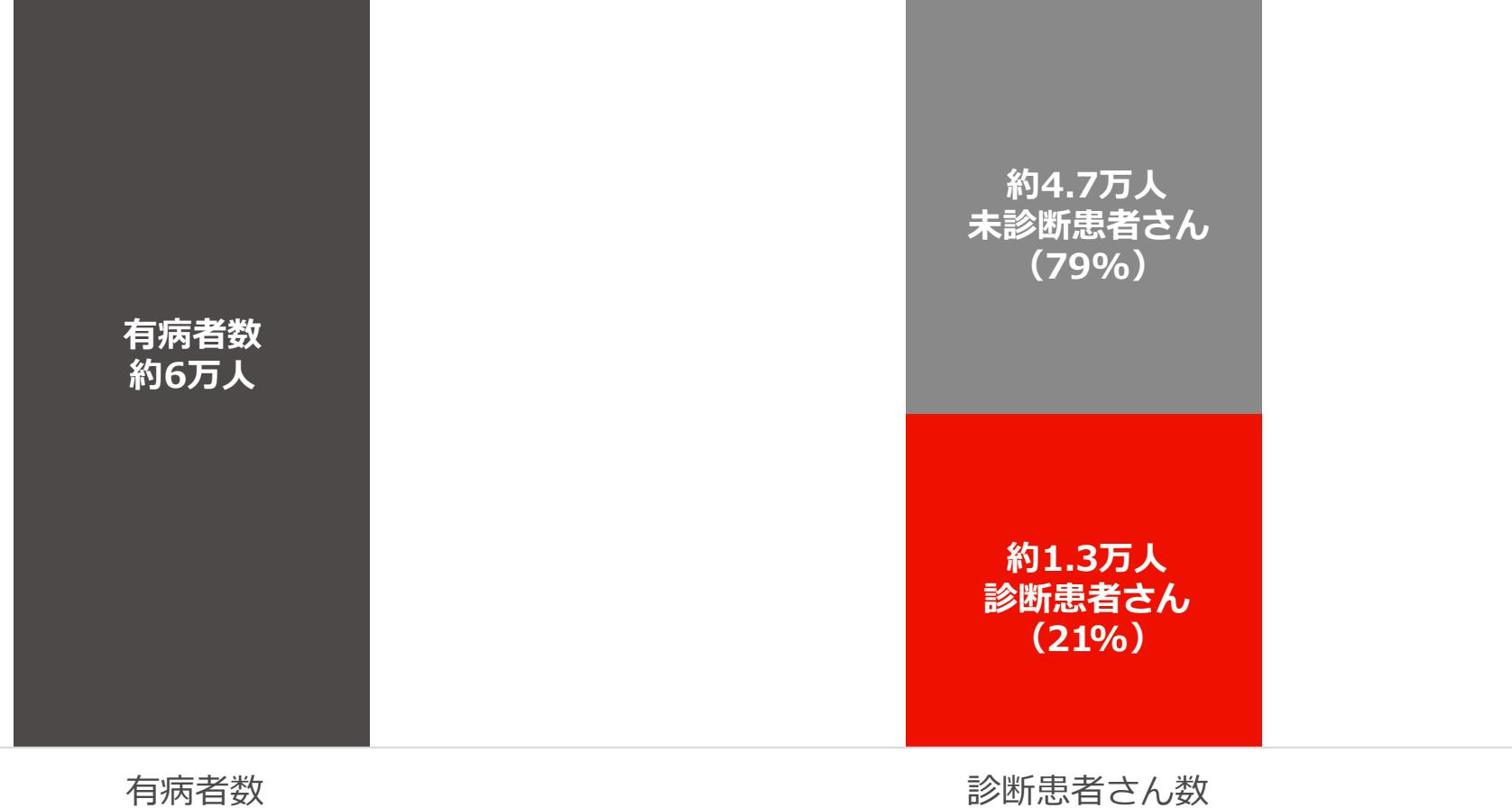
有病者数



診断患者さん数

ファブリー病の疫学： 米国以外の地域（中国、インドは含まず）

REPLAGAL[®]
agalsidase alfa



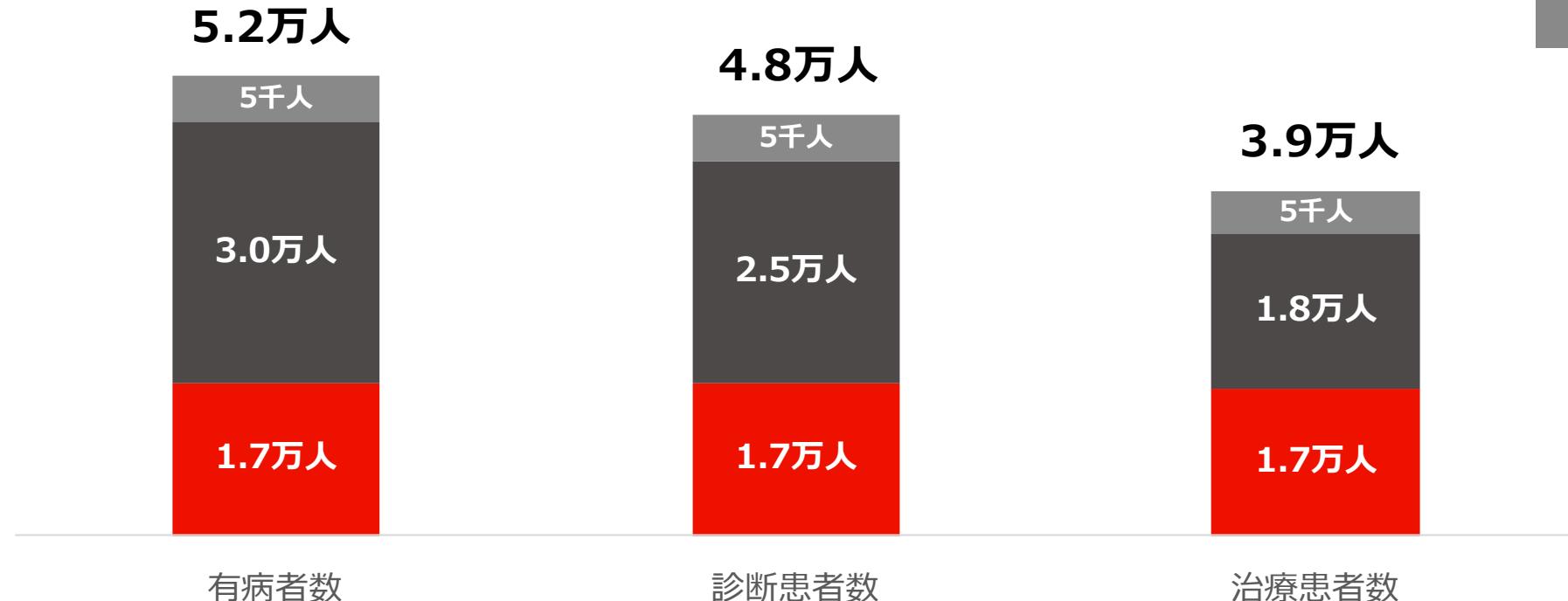
慢性副甲状腺機能低下症の疫学：米国、欧州 成長新興国、日本、中国は含まない

Natpara®
(parathyroid hormone)
For Injection



インヒビターを保有しない血友病A

米国
欧州主要5カ国
日本



注：グラフでは、罹患率とはインヒビターを保有しない血友病Aの患者さん数を示す。発生率と人口に基づいて算出された米国の有病者数は、AIDSやC型肝炎などを併発していることによる高い死亡率を考慮していないため高い

付録3 臨床試験の概要



臨床試験サマリー



ライフサイクルマネジメント¹

	LIFE CYCLE MANAGEMENT ¹	WAVE 1	WAVE 2
ONCOLOGY	ALUNBRIG 1L ALK+ NSCLC	mobocertinib 2L NSCLC w/EGFR exon 20 insertion mutation	TAK-981 Multiple cancers
	ALUNBRIG 2L ALK+NSCLC H2H with alemtuzumab	mobocertinib 1L NSCLC w/EGFR exon 20 insertion mutation	TAK-981 Non-Hodgkin's lymphoma
	ICLUSIG TKI res. Chronic phase CML	pevoneditat HR-MDS	TAK-981 Solid tumors
	ICLUSIG FL Ph+ ALL	pevoneditat Unfit AML	TAK-605: Multiple cancers
	NINLARO Maintenance ND MM post-SCT (MM3)	TAK-007 CD19+hemato malignancies	TAK-573 Solid tumors
	NINLARO Maintenance ND MM no-SCT (MM4)		TAK-573 R/R multiple myeloma
RARE GENETIC & HEMATOLOGY	NINLARO Maintenance no-SCT (MM6)		TAK-676 STING agonist solid tumors
	ADYNOVATE Pediatric Hemophilia A	maribavir R/R CMV infection in HSCT and SOT	mezagatimab (TAK-079) ITP, MG
	VONVENDI vWD Adult Prophylaxis, Peds	maribavir 1L CMV infection In HSCT	TAK-607 Complications of prematurity
	TAKHZYRO HAE Pediatric	TAK-755 cTTP	TAK-755 iTTP
	TAKHZYRO Bradykinin-mediated angioedema	TAK-611 MLD (IT)	TAK-755 SCD
NEUROSCIENCE	OBIZUR CHAWI surgery	TAK-609 Hunter CNS (IT)	
		TAK-994 Orexin 2-ag NT1 and NT2	WVE 120101/02 Huntington's Disease
GASTROENTEROLOGY		TAK-925 Narcolepsy NT1 and other sleep disorders	TAK-341 Parkinson's Disease
	soticlestat Rare epilepsies – LGS, DS		
	ENTYVIO GvHD Prophylaxis	TAK-721 Eosinophilic Esophagitis	TAK-951 Post-op nausea & vomiting
	ENTYVIO UC/CD SC		TAK-906 Gastroparesis
	ENTYVIO Pediatric UC/CD		TAK-954 POGD
PDT	Alofisel Complex perianal Fistulas in CD		sibofimloc Post-Op CD
	Vonoprazan H. Pylori China		
	HYQVIA CIDP	CoVlg-19 COVID-19 hyperimmune IV globulin	
VACCINES	HYQVIA Pediatric PID		
	GLASSIA A1P1 deficient patients	TAK-003 Dengue vaccine	TAK-214 Norovirus vaccine
			TAK-426 Zika vaccine

101 | 1. ライフサイクルマネジメントプログラムまたは市販済資産を指し、新規適応症、新規地域の拡大、規制要件の充足、新規製剤・使用方法の開発、および/または商業的/競争力のあるプロファイルの強化を企図して開発中。



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

ALUNBRIG (BRIGATINIB): ALK INHIBITOR

Study	<u>NCT02737501</u>	<u>NCT03596866</u>
Indication	ALK-positive advanced lung cancer	ALK-positive non-small-cell lung cancer (NSCLC)
Phase	Phase III ALTA-1L	Phase III ALTA-3
# of Patients	N = 275	N = 246
Target Patients	ALK+ locally advanced or metastatic NSCLC patients who have not previously been treated with an ALK inhibitor	Patients with ALK+ locally advanced or metastatic NSCLC who have progressed on crizotinib
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Brigatinib 180 mg QD with 7-day lead-in at 90 mg Arm B: Crizotinib 250 mg BID 	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Alunbrig 90 mg to 180 mg QD Arm B: Alecensa 600 mg PO BID with food
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Progression-free survival (PFS) as assessed by blinded Independent Review Committee (bIRC)	Progression-Free Survival (PFS) as assessed by blinded Independent Review Committee (bIRC)
	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: April 2016 Primary completion date: July 2019 	
Status	<p>Publications:</p> <ul style="list-style-type: none"> Camidge DR, et al. N Engl J Med 2018;379(21): 2027-2039 Camidge DR, Kim HR, Ahn MJ, et al. J Clin Oncol 2020;38: 1-13 Garcia Campelo MR, et al. Ann Oncol 2020;31(suppl 4): S844 Popat S, Kim HR, et al. Ann Oncol 2020;31(suppl 4): S840-S841 	<ul style="list-style-type: none"> Study Start Date: April 2019 Estimated primary completion date¹: FY21

ICLUSIG (PONATINIB): BCR-ABL INHIBITOR

Study	<u>NCT02737501</u>	<u>NCT03596866</u>
Indication	Chronic myeloid leukemia (CML)	Ph+ acute lymphoblastic leukemia (ALL)
Phase	Phase II OPTIC	Phase III Ph+ALLCON
# of Patients	N = 276	N = 230 - 320
Target Patients	Patients with resistant chronic phase chronic myeloid leukemia	Patients with newly-diagnosed Ph+ ALL
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Ponatinib 45 mg once daily Ponatinib 30 mg once daily Ponatinib 15 mg once daily 	<ul style="list-style-type: none"> Cohort A: Ponatinib/reduced intensity chemotherapy until progressive disease (PD) or stem cell transplant (SCT) Cohort B: Imatinib/reduced intensity chemotherapy until PD or SCT
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	≤1% BCR-ABL1 at 12 months (time frame: 12 months)	Number of participants with Minimal Residual Disease (MRD) - Negative Complete Remission (CR) [Time frame: From Cycle 1 through Cycle 3 (approximately 3 months) (Cycle length is equal to 28 days)]
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: June 2015 Primary completion date: April 2020 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2018 Estimated primary completion date¹: FY21

NINLARO (IXAZOMIB): ORAL PROTEASOME INHIBITOR

Study	NCT02181413	NCT03596866
Indication	Multiple myeloma maintenance post-stem cell transplant	Multiple myeloma (MM) maintenance non-stem cell transplant
Phase	Phase III TOURMALINE-MM3	Phase III TOURMALINE-MM3
# of Patients	N = 652	N = 761
Target Patients	Patients with multiple myeloma following autologous stem cell transplant	Patients with newly-diagnosed MM not treated with stem cell transplantation
Arms/Intervention	Arm A: Ixazomib • Cycles 1-4: Ixazomib 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle • Cycles 5-26: Ixazomib 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle Arm B: Placebo • Cycles 1-4: Placebo 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle • Cycles 5-26: Placebo 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle	Arm A: Ixazomib • Cycles 1-4: Ixazomib 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle • Cycles 5-26: Ixazomib 3.0 mg or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle Arm B: Placebo • Cycles 1-4: Placebo 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle • Cycles 5-26: Placebo 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	• Primary: Progression Free Survival (PFS) • Secondary: Overall survival (OS)	• Primary: Progression Free Survival (PFS) • Secondary: Overall survival (OS)
Status	• Study start date: July 2014 • Primary completion date: April 2018 • Interim OS analysis*: FY21; Final: FY24/25 Publications: • Dimopoulos MA, et al. Lancet. 2019 Jan 19;393(10168):253-264 • Kaiser M, et al. Ann Hematol. 2020 Aug;99(8): 1793-1804 • Hari P, et al. J Med Econ. 2018 Aug;21(8): 793-798 • Schjesvold F, et al. Eur J Haematol. 2020 May;104(5):443-458 • Goldschmidt H, et al. Leukemia. 2020 Nov;34(11): 3019-3027 • Paiva B, et al. Presentation at EHA 2020	• Study start date: April 2015 • Primary completion date: August 2019 • Interim OS analysis ¹ : FY22; Final FY24 Publications: • Bringhen S, et al. Presentation at ASH 2020 • Paiva B, et al. Presentation at ASH 2020 • Dimopoulos MA, et al. https://ascopubs.org/doi/full/10.1200/JCO.20.02060

NINLARO (IXAZOMIB): ORAL PROTEASOME INHIBITOR

Study	<u>NCT03173092</u>
Indication	Non-transplant eligible patients with newly diagnosed multiple myeloma
Phase	Phase IV MM6
# of Patients	N = 160
Target Patients	Patients with multiple myeloma previously receiving a bortezomib-based induction. In-class (proteasome inhibitor) transition after 3 cycles of bortezomib-based therapy.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Ixazomib 4 mg + lenalidomide 25 mg + dexamethasone 40 mg Transition from a bortezomib based regimen to IRD (ixazomib, lenalidomide, dexamethasone) may allow the long term proteasome inhibition to be maximized while maintaining a manageable safety profile.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Progression-free survival (PFS).</p> <p>Key secondary endpoints: time to next therapy (TTNT), relative dose intensity (RDI) of the oral regimen, overall survival (OS), electronic patient reported outcomes (ePRO) and actigraphy (activity/sleep) data.</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: September 2017 Primary completion date: FY26

MOBOCERTINIB (TAK-788): EGFR/HER2 EXON 20 INHIBITOR

Study	NCT02716116	NCT04129502
Indication	2L NSCLC exon 20 insertion mutation	1L NSCLC exon 20 insertion mutation
Phase	Registration enabling Phase II EXCLAIM	Phase III EXCLAIM-2
# of Patients	N = 341	N = 318
Target Patients	2L+ NSCLC harboring EGFR in-frame exon 20 insertion mutations	1L NSCLC harboring EGFR in-frame exon 20 insertion mutations
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Single arm: Mobocertinib 160 mg QD 	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Mobocertinib 160 mg QD Arm B: Platinum-based chemotherapy
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Confirmed ORR assessed by IRC	PFS as assessed by blinded Independent Review Committee (IRC)
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: April 2016 Primary completion date: May 2020 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: January 2020 Estimated primary completion date¹: FY21

NEDD8-ACTIVATING ENZYME (NAE) INHIBITOR

Study	<u>NCT03268954</u>	<u>NCT04090736</u>
Indication	HR MDS	Unfit AML
Phase	Phase III PANTHER	Phase III PEVOLAM
# of Patients	N = 450	N = 466
Target Patients	Patients with higher risk myelodysplastic syndromes (HR MDS), chronic myelomonocytic leukemia or low-blast acute myelogenous leukemia (LB AML)	Patients with acute myeloid leukemia (AML) not eligible for INTENSIVE chemotherapy
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Pevonedistat 20 mg/m² (IV) on days 1, 3, 5; Azacitidine (AZA) 75 mg/m² (SC) on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycles Arm B: AZA 75 mg/m² SC on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycle 	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Pevonedistat 20 mg/m² (IV) on days 1, 3, 5; Azacitidine (AZA) 75 mg/m² (SC) on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycles Arm B: AZA 75 mg/m² SC on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycle (IV AZA can be administered for any patients who have non-tolerated local reactions)
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Primary: Event-free survival (EFS) Secondary: Overall survival (OS)	Overall survival (OS)
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: December 2017 Estimated primary completion date¹: FY20/21 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2019 Estimated primary completion date²: FY24

1. The primary endpoint, EFS, is event driven and changes in event rate can lead to a change in the primary completion date.

2. The primary endpoint, OS, is event driven and changes in event rate can lead to a change in the primary completion date.

TAK-007: CD19 CAR NK

Study	NCT03056339¹
Indication	Relapsed refractory B-lymphoid malignancies
Phase	Phase I
# of Patients	N = 36
Target Patients	Patients with relapsed and refractory CD19+ B lymphoid malignancies
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Fludarabine 30 mg/m² by vein on days -5 to -3 • Cyclophosphamide 300 mg/m² by vein on days -5 to -3 • Mesna 300 mg/m² by vein on days -5 to -3 • iC9/CAR.19/IL15-Transduced CB-NK Cells: Infusion of iC9/CAR.19/IL15-transduced CB-NK cells on Day 0 by vein; starting dose: 10E5 • AP1903: If participant has graft-versus-host disease (GvHD) or cytokine release syndrome after the NK cell infusion, they will receive AP1903 0.4 mg/kg administered as an intravenous infusion.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and efficacy
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: June 2017 Publication: • Liu E, Marin D, Banerjee P, et al. N Engl J Med 2020;382(6): 545-553

TAK-981: SUMO-ACTIVATING ENZYME¹ INHIBITOR

Study	NCT03648372	NCT04074330
Indication	Solid tumors, hematologic malignancies	Non-Hodgkin's lymphoma (NHL)
Phase	Phase I	Phase I/II
# of Patients	N = 80	N = 130
Target Patients	Adult participants with advanced or metastatic solid tumors or relapsed/refractory hematologic malignancies	Patients with relapsed/refractory CD-20 positive NHL
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> TAK-981, intravenously, administered as 60 minute-infusion, once on Days 1, 4, 8, and 11 for 2 consecutive weeks, followed by 1 week rest in a 21-day treatment cycle 	<ul style="list-style-type: none"> Phase 1, aNHL/iNHL: TAK-981 (10-160 mg) + rituximab 375 mg/m² Phase 2, Cohort A: r/r DLBCL progressed to CAR T-cell therapy Phase 2, Cohort B: r/r DLBCL with no CAR T-cell prior therapy Phase 2, Cohort C: r/r FL progressed to systemic therapies
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety, tolerability and PK	Safety, tolerability and RP2D
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2018 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2019

TAK-981: SUMO-ACTIVATING ENZYME¹ INHIBITOR

Study	<u>NCT04381650</u>
Indication	Solid tumors
Phase	Phase Ib/II
# of Patients	N = 101
Target Patients	Patients with select advanced or metastatic solid tumors
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Escalating doses of TAK-981 with starting dose of 40 mg, intravenous (IV) infusion, on Days 1, 4, 8 and 11 in each 21-day treatment cycle and pembrolizumab 200 mg, IV infusion, as a fixed dose every 3 weeks in 21-day treatment cycle until RP2D is determined (for a maximum of 24 months). TAK-981 at RP2D as IV infusion on Days 1, 4, 8 and 11 in each 21-day treatment cycle up to disease progression or 12-months and pembrolizumab 200 mg IV infusion as a fixed dose every 3 weeks in 21-day treatment cycle for a maximum of 24 months.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and tolerability
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2020

TAK-605: ONCOLYTIC VIRUS ENCODING TRANSGENES FOR FLT3 LIGAND, ANTI-CTLA-4 ANTIBODY, AND IL-12 CYTOKINE

オンコロジー

Study	<u>NCT04301011¹</u>
Indication	Solid tumors
Phase	Phase I/IIa
# of Patients	N = 84
Target Patients	Patients with advanced solid tumors <ul style="list-style-type: none">• Arm A: TBio-6517 (TAK-605) dose escalation administered alone by direct injection into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.• Arm B: TBio-6517 and pembrolizumab Dose escalation of TBio-6517 administered in combination with pembrolizumab. TBio-6517 will be directly injected into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months. Pembrolizumab will be administered beginning at Day 8 via intravenous (IV) infusion every 3 weeks for up to 24 months.• TBio-6517 and pembrolizumab in MSS-CRC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with microsatellite stable colorectal carcinoma (MSS-CRC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.• TBio-6517 and pembrolizumab in TNBC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with triple negative breast cancer (TNBC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">• Arm A: TBio-6517 (TAK-605) dose escalation administered alone by direct injection into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.• Arm B: TBio-6517 and pembrolizumab Dose escalation of TBio-6517 administered in combination with pembrolizumab. TBio-6517 will be directly injected into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months. Pembrolizumab will be administered beginning at Day 8 via intravenous (IV) infusion every 3 weeks for up to 24 months.• TBio-6517 and pembrolizumab in MSS-CRC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with microsatellite stable colorectal carcinoma (MSS-CRC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.• TBio-6517 and pembrolizumab in TNBC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with triple negative breast cancer (TNBC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Recommended Phase 2 dose (RP2D)
Status	<ul style="list-style-type: none">• Study start date: August 2020

TAK-573: FIRST-IN-CLASS ANTI-CD38/ATTENUATED IFNA FUSION PROTEIN

オンコロジー

Study	NCT04157517	NCT03215030
Indication	Solid tumors	Relapsed/refractory multiple myeloma
Phase	Phase I	Phase I/2
# of Patients	N = 86	N = 151
Target Patients	Patients with locally advanced or metastatic solid tumors	Patients with relapsed/refractory multiple myeloma
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">TAK-573 0.1 to 6 milligram per kilogram (mg/kg), infusion, intravenously, once on Day 1 of each 21-days treatment cycle for up to 1 year. Administration of TAK-573 on Day 1 of each 21-days treatment cycle may also be evaluated.	<ul style="list-style-type: none">Phase 1 cohort: TAK-573 0.001 to 14 milligram per kilogram (mg/kg), infusion, intravenously, once on Days 1, 8, 15 and 22 of each 28-day treatment cycle up to 2 cycles, followed by once on Days 1 and 15 of each 28-day treatment cycle up to 4 cycles, followed by once on Day 1 of each 28-day treatment cycle until treatment discontinuation.Phase 2 cohort: TAK-573 TBD as a single agent. Participants in at least 1 cohort will receive TAK-573 TBD and dexamethasone 40 mg, orally, once weekly of each 28-day treatment cycle until treatment discontinuation.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and tolerability	Safety and tolerability
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: December 2019	<ul style="list-style-type: none">Study start date: October 2017

TAK-676: STING AGONIST

Study	<u>NCT04420884</u>
Indication	Solid tumors
Phase	Phase I
# of Patients	N = 76
Target Patients	Adult patients with advanced or metastatic solid tumors
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm 1: Dose escalating single agent TAK-676, starting with a safety lead-in at 0.1 mg IV on Days 1, 8, 15 in 21-day treatment cycles, and capping at 2.5 mg IV on Days 1, 8 and 15 in a 21-day cycle. Arm 2: Dose escalating TAK-676 along the above parameters in combination with fixed dose pembrolizumab at 200 mg IV administered on D1 in a 21-day cycle.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Primary endpoints: Safety and tolerability Secondary objectives: Recommended Phase 2 dose (RP2D), overall response rate (ORR)
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: July 2020

TAK-169: ANTI-CD38 ANTIBODY-SLTA¹ TOXIN

Study	<u>NCT04017130</u>
Indication	Relapsed or refractory multiple myeloma
Phase	Phase I
# of Patients	N = 102
Target Patients	Patients with relapsed or refractory multiple myeloma
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Dose escalation arms: TAK-169 50 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 100 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 200 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 335 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 500 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 665 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 TBD Once Every Two Weeks; Expansion arms: Daratumumab (R/R) cohorts (once weekly and once every 2 weeks TAK-169 administration) and an anti-CD38 therapy naive cohort (once weekly TAK-169 administration). The starting dose for each expansion cohort may be the MTD/RP2D² or a recommended dose below the MTD determined during dose escalation after review of the available safety, efficacy, PK, and PD data.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety, tolerability, PK and efficacy
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: February 2020

1. SLTA = Shiga-like toxin A

2. MTD = Maximum tolerated dose. RP2D = Recommended phase 2 dose.

TAK-252: PD1-FC OX40L ARC

Study	<u>NCT03894618¹</u>
Indication	Advanced solid tumors or lymphomas
Phase	Phase I
# of Patients	N = 87
Target Patients	Patients with advanced solid tumors or lymphomas
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">TAK-252 (SL-279252) is a first-in-class agonist redirected checkpoint (ARC) fusion protein (FP) consisting of the extracellular domains of human programmed cell death 1 (PD-1) and OX40L, linked by a central Fc domain (PD1-Fc-OX40L).
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety, maximum tolerated dose (MTD). Recommended Phase 2 dose (RP2D), preliminary antitumor activity by iRECIST, immunogenicity and PK characterization of TAK-252
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: March 2019

TAK-102: GPC3 CAR-T

Study	<u>NCT04405778¹</u>
Indication	Solid tumors
Phase	Phase I
# of Patients	N = 18
Target Patients	Adult patients with GPC3-expressing previously treated solid tumors
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Cohort 1: 1 × 10⁷ CAR (+) cells/body [starting dose] • Cohort 2: 1 × 10⁸ CAR (+) cells/body • Cohort 3: 1 × 10⁹ CAR (+) cells/body
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> • Primary endpoint: Incidence of dose-limiting toxicities, treatment-emergent adverse events (AEs) and AEs of clinical interest • Primary objective: To evaluate the safety and tolerability of TAK-102 and to determine the recommended Phase 2 dose of TAK-102
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: July 2020

TAK-940: CD19 CAR-T

Study	<u>NCT04464200¹</u>
Indication	Relapsed/refractory B-cell cancers
Phase	Phase I
# of Patients	N = 30
Target Patients	Adult patients with relapsed or refractory B-cell malignancies
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> 19(T2)28z1xx CAR T cells Cohorts of 3-6 patients will be infused with escalating doses of 19(T2)28z1xx CAR T cells to establish the RP2D. There are 4 planned flat-dose levels: 25×10^6, 50×10^6, 100×10^6, and 200×10^6 CAR T cells and one de-escalation dose: 12.5×10^6 CAR T cells. A standard 3+3 dose escalation design will be implemented starting from dose 1.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Recommended Phase 2 dose (RP2D)
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2020

臨床試験サマリー



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

ADYNOVATE (TAK-660): RECOMBINANT, PEGYLATED ANTIHEMOPHILIC FACTOR

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT02615691
Indication	Hemophilia A
Phase	Phase III
# of Patients	N = 120
Target Patients	Previously untreated patients (PUPs) < 6 years with severe hemophilia A (FVIII < 1%)
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Single group assignment
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>The primary objective is to determine safety including immunogenicity of Adynovate (TAK-660/BAX 855) based on the incidence of inhibitor development to FVIII (≥ 0.6 Bethesda unit (BU)/mL using the Nijmegen modification of the Bethesda assay).</p> <p>Safety</p> <ol style="list-style-type: none">To determine the immunogenicity of Adynovate in terms of binding IgG and IGM antibodies to FVIII, PEG-FVIII and PEGTo determine the safety of Adynovate based on adverse events (AEs) and serious adverse events (SAEs) <p>Hemostatic Efficacy</p> <ol style="list-style-type: none">To assess the efficacy of prophylactic treatment with AdynovateTo characterize the efficacy of Adynovate in the control of bleeding episodes <p>Pharmacokinetics</p> <ol style="list-style-type: none">To determine the incremental recovery (IR) of Adynovate at baseline and over timeTo determine half-life of Adynovate at baseline (optional)
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: November 2015

RECOMBINANT VON WILLEBRAND FACTOR

Study	NCT02973087	NCT02932618
Indication	Adult Prophylaxis	Pediatric On-demand and Elective Surgery
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 22	N = 27 (On-demand) N = 12 (Elective Surgery)
Target Patients	Severe von Willebrand Disease	Severe von Willebrand Disease
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Transitioning from on-demand Arm B: Switching from prophylactic treatment with pdVWF 	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: On-demand Arm B: Elective and emergency surgery
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Annual Bleed Rate (ABR) <= subject's historical ABR for spontaneous bleeding episodes Key secondary endpoint: Additional efficacy of prophylactic treatment 	<ul style="list-style-type: none"> Hemostatic efficacy and safety of rVWF, with or without ADVATE, in the treatment and control of nonsurgical bleeding events Key secondary endpoint: Hemostatic efficacy assessed after the last perioperative rVWF infusion
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2017 Primary completion date: August 2020 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2016 Estimated primary completion date: FY22

TAKHZYRO (LANADELUMAB): PLASMA KALLIKREIN (PKAL) INHIBITOR

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT04070326	NCT04206605
Indication	Hereditary angioedema (HAE) pediatric	Non-histaminergic angioedema with normal C1-Inhibitor
Phase	Phase III SPRING	Phase III CASPIAN
# of Patients	N = 20	N = 75
Target Patients	Type I and Type II hereditary angioedema, ages 2 to <12 yo	Non-histaminergic bradykinin-mediated angioedema (BMA) with normal C1-inhibitor
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Lanadelumab 150mg; q4wks ages 2 to < 6, q2wks ages 6 to <12 yo 	<ul style="list-style-type: none"> Lanadelumab 300mg q2wks
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Primary: Safety and pharmacokinetics Secondary: Clinical outcomes, pharmacodynamics 	<ul style="list-style-type: none"> Primary: Number of investigator-confirmed angioedema attacks during the treatment period of Day 0 through Day 182 Key Secondary: Number of participants achieving attack-free status during the treatment period of Day 0 through Day 182
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2019 Estimated primary completion date: FY22 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2020 Estimated primary completion date: FY23

MARIBAVIR (TAK-620):

ORAL VIRAL PROTEIN KINASE INHIBITOR

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT02931539	NCT02927067
Indication	Treatment of Resistant/Refractory Post-Transplant Cytomegalovirus (CMV) Infection	Treatment of CMV infection in Hematopoietic Stem Cell Transplant Recipients
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 351	N = 550
Target Patients	Treatment of CMV infection refractory or resistant to ganciclovir, valganciclovir, cidofovir or foscarnet in solid organ transplant (SOT) and stem cell transplant patients	Treatment of asymptomatic CMV infection in stem cell transplant patients
Arms/Intervention	Arm A: Maribavir Arm B: Investigator-assigned treatment	Arm A: Maribavir Arm B: Valganciclovir
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Primary: Confirmed clearance of plasma CMV DNA (CMV viremia clearance) at the end of Study Week 8 Secondary: Achievement of CMV viremia clearance and resolution or improvement of tissue invasive CMV disease or CMV syndrome for subjects symptomatic at baseline or achievement of clearance of viremia and no symptoms of tissue invasive CMV disease or CMV syndrome for subjects asymptomatic at baseline at the end of Study Week 8, followed by maintenance of this treatment effect for an additional 8 weeks off treatment 	<ul style="list-style-type: none"> Primary: Confirmed clearance of plasma CMV DNA (CMV viremia clearance) at the end of Study Week 8 Secondary: Maintenance of confirmed CMV viremia clearance achieved at the end of Study Week 8 through Week 16 having received exclusively a study-assigned treatment.
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: December 2016 Estimated primary completion date: FY20 Papanicolaou GA, et al. Clin Infect Dis. 2019 Apr 8;68(8):1255-1264. 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: April 2017 Estimated primary completion date: FY21 Maertens J, et al. N. Engl J Med 2019;381:1136-47.

TAK-755: REPLACEMENT OF THE DEFICIENT-ADAMTS13 ENZYME

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT03393975	NCT03922308	NCT03997760
Indication	Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (cTTP)	Immune Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (iTTP)	Sickle Cell Disease
Phase	Phase III	Phase II	Phase I
# of Patients	N = 68	N = 30	N = 56
Target Patients	Patients diagnosed with severe cTTP in prophylactic and on-demand treatment	Adult patients diagnosed with iTTP	Adult patients with sickle cell disease at baseline health and during acute vaso-occlusive crisis (VOC)
Arms/Intervention	Prophylaxis Treatment Cohort: 6 + 6 months cross over of TAK-755 vs SoC followed by 6 months TAK-755 extension <ul style="list-style-type: none"> • Arm 1: TAK-755 + SOC • Arm 2: SOC + TAK-755 (Patients are eligible to enter the prophylaxis study upon completion of acute treatment)	<ul style="list-style-type: none"> • Arm 1: TAK-755 High dose + SOC • Arm 2: TAK-755 Low dose + SOC • Arm 3: Placebo + SOC 	<ul style="list-style-type: none"> • Part A: TAK-755 administered at baseline health at 3 dose levels and with placebo • Part B: TAK-755 administered during acute VOC at 3 dose levels of 40, 80, and 160 IU/kg. • Placebo will be administered in an equivalent volume of the 3 dose levels of 40, 80, and 160 IU/kg during part A and part B
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Incidence of acute TTP episodes in subjects receiving prophylactic treatment with either TAK-755 or SoC	ADAMTS-13 activity, ADAMTS-13 binding and inhibitory antibodies, Platelet count, and LDH levels	SAEs/AEs, adverse changes in vital signs and laboratory parameters, and incidence of binding and inhibitory antibodies to ADAMTS-13
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: October 2017 • Estimated primary completion date: FY22 	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: October 2019 	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: October 2019

TAK-611: RHASA¹ ENZYME REPLACEMENT THERAPY FOR MLD, INTRATHECAL (IT)

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT01887938	NCT03771898
Indication	Treatment of patients with motor symptoms in Metachromatic Leukodystrophy (MLD)	Treatment of patients with motor symptoms in Metachromatic Leukodystrophy (MLD)
Phase	Phase I/II Extension Trial (Of HGT-MLD-070)	Registration Enabling Phase IIb
# of Patients	N = 23	N = 42
Target Patients	Children with Metachromatic Leukodystrophy (MLD)	Late Infantile Metachromatic Leukodystrophy (MLD)
Arms/Intervention	<p>Open Label with 4 Cohorts:</p> <ul style="list-style-type: none">Cohort 1 – 10 mg dose levelCohort 2 – 30 mg dose levelCohort 3 – 100 mg dose levelCohort 4 – 100 mg dose level (Process B)	<p>Open Label with 6 Groups:</p> <ul style="list-style-type: none">Group A - GMFC-MLD level of 1 or 2Group B - GMFC-MLD level of 3Group C - GMFC-MLD level of 4Group D - younger siblings of enrolled subjects, and have the same ASA allelic constitutionGroup E - GMFC-MLD level of 1 or 2 (≥ 12 to < 18 months of age)Group F - GMFC-MLD level of 5 or 6
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary - Safety will be measured by the following endpoints:</p> <ul style="list-style-type: none">Reporting of treatment-emergent adverse events (TEAEs)Change from baseline in clinical laboratory testing (serum chemistry including liver function tests, hematology, and urinalysis)Change from baseline in vital signs, physical examinations, and CSF chemistry (including cell counts, glucose, albumin, and protein)Determination of the presence of anti-HGT-1110 antibodies in CSF and/or serum	<p>Primary - The primary efficacy endpoint is response in Group A, defined as maintenance of gross motor function at 2 years (Week 106), evaluated as no greater than 2 levels decline from baseline in GMFC-MLD. If suitable controls cannot be matched despite the sponsor's best efforts, change from baseline results of GMFC-MLD at Week 106 may be compared with a prespecified objective threshold to evaluate primary efficacy for this study.</p>
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: May 2013	<ul style="list-style-type: none">Study start date: May 2019Estimated primary completion date: FY22

TAK-609: CNS REPLACEMENT OF THE DEFICIENT-IDS¹ ENZYME, INTRATHECAL (IT)

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT01506141	NCT02412787
Indication	Hunter Syndrome with Cognitive Impairment	Hunter Syndrome with Cognitive Impairment
Phase	Phase I/II HGT-HIT-045	Phase II/III HGT-HIT-094
# of Patients	N = 14	N = 56
Target Patients	Pediatric participants that completed HGT-HIT-045 with Hunter syndrome and cognitive impairment	Pediatric Participants that completed study HGT-HIT-094 to continue receiving Elaprase treatment in conjunction with IdS IT or to continue receiving Elaprase treatment and begin concurrent IT treatment for those that did not receive IdS IT treatment in study HGT-HIT-094.
Arms/Intervention	All Participants will receive Idursulfase-IT once monthly at the dose used in study HGT-HIT-045 via intrathecal drug delivery device (IDDD).	All 56 Participants will receive 10 mg of IdS IT once every 28 days. Participants who are younger than 3 years of age will receive an adjusted dose of 7.5 mg (>8 months to 30 months of age) and 10 mg (>30 months to 3 years of age).
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Extension study of HGT-HIT-045 evaluating long-term safety and clinical outcomes of intrathecal idursulfase in conjunction with intravenous elaprase	An open label extension of study HGT-HIT-094 evaluating long term safety and clinical outcomes of intrathecal idursulfase administered in conjunction with elaprase
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: August 2010, recruitment completed Publication: • Muenzer J, et al. <i>Genet. Med.</i> 2016 Jan; 18(1):73-81. 	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: October 2015, recruitment completed

MEZAGITAMAB (TAK-079): ANTI-CD38 ANTIBODY

Study	NCT04278924	NCT04159805
Indication	Persistent/Chronic Primary Immune Thrombocytopenia (ITP)	Myasthenia Gravis
Phase	Phase II	Phase II
# of Patients	N = 54	N = 36
Target Patients	Patients ≥18 years of age with persistent/chronic primary ITP	Patients ≥18 years of age with generalized Myasthenia Gravis
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Part A: 2 dose groups and placebo added to stable background therapy <ul style="list-style-type: none"> • Arm A1: Matching placebo (n = 12 patients) • Arm A2: TAK-079 100 mg (n = 12 patients) • Arm A3: TAK-079 300 mg (n = 12 patients) • Part B: Following interim analysis. 1 dose group and placebo (600 mg) added to stable, standard background therapy. <ul style="list-style-type: none"> • Arm B1: Matching placebo (n = 6 patients) • Arm B2: TAK-079 600 mg (n = 12 patients) 	<ul style="list-style-type: none"> • 2 dose groups and placebo added to stable background therapy <ul style="list-style-type: none"> • TAK-079 300 mg (n = 12 patients) • TAK-079 600 mg (n = 12 patients) • Matching placebo (n = 12 patients)
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	The primary endpoint is the percentage of patients with TEAEs including Grade 3 or higher events, SAEs, and AEs leading to TAK-079 discontinuation.	The primary endpoint is the percentage of patients with TEAEs including Grade 3 or higher events, SAEs, and AEs leading to TAK-079 discontinuation.
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Estimated study start date: Late FY2020 	Study start date: January 2020

MECASERMIN RINFABATE (TAK-607): *REPLENISHES INSULIN LIKE GROWTH FACTOR-1, IV*

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT03253263
Indication	Disease Complications of Extremely Premature Infants
Phase	Phase IIb
# of Patients	N = 477
Target Patients	Extremely premature infants (birth > 23 weeks to < 28 weeks of gestational age)
Arms/Intervention	<p>3 Arms 1:1:1 Ratio</p> <ul style="list-style-type: none">~159 subjects randomized to continuous IV infusion of SHP607 250 µg/kg/24 hours~159 subjects randomized to continuous IV infusion of SHP607 400 µg/kg/24 hours~159 subjects randomized to standard neonatal care
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Time to final weaning off respiratory technology support (RTS) from Day 1 (i.e., randomization) through 12 months corrected age (CA)
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: May 2019

OBIZUR (TAK-672): RECOMBINANT ANTIHEMOPHILIC FACTOR, PORCINE SEQUENCE

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	NCT02895945
Indication	Congenital Hemophilia A with Inhibitors (CHAWI) patients who are undergoing major or minor elective surgical, dental, or other invasive procedures
Phase	Phase III
# of Patients	N = 12
Target Patients	CHAWI patients
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Single arm study with individualized loading and subsequent dosing
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none">Primary endpoint: Global Hemostatic Efficacy Assessment ScoreSecondary endpoints: Blood loss, blood transfusions, and bleeding episodes
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: May 2017

臨床試験サマリー



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

TAK-994: OREXIN 2R AGONIST, ORAL

Study	NCT04096560	NCT04551079
Indication	Narcolepsy with or without cataplexy (NT1 or NT2)	Acute sleep phase delay paradigm in healthy male participants
Phase	Phase II SPARKLE-1501	Phase I
# of Patients	N = up to 202	N = 18
Target Patients	Patients with Narcolepsy Type 1 (with cataplexy, NT1) or Narcolepsy Type 2 (without cataplexy, NT2)	Healthy male participants
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Part A: Patients with NT1 treated for 28 days (TAK-994 dose 1 or placebo in 2:1 ratio). Second cohort with dose 2 TBD. • Part B: Dose ranging study in NT1 for 56 days (TAK-994 dose 1-3 or placebo in 1:1:1:1 ratio) • Part C: China specific cohort in NT1 for 56 days (TAK-994 or placebo in 2:1 ratio) • Part D: Patients with NT2 treated for 28 days (TAK-994 or placebo in 2:1 ratio). Second cohort with dose 2 TBD. 	Randomization to 1 of 3 treatment sequences with a washout period of at least 7 days in between each treatment period: <ul style="list-style-type: none"> • TAK-994 Dose A, Placebo, and TAK-994 Dose B • TAK-994 Dose B, TAK-994 Dose A, and Placebo • Placebo, TAK-994 Dose B, and TAK-994 Dose B
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> • Maintenance of Wakefulness Test (MWT) • Epworth Sleepiness Scale (ESS) • Weekly Cataplexy Rate (WCR) 	<ul style="list-style-type: none"> • Maintenance of Wakefulness Test (MWT) • Safety, PK/PD
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: July 2020 	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: September 2020

TAK-925: OREXIN 2R AGONIST, IV

Study	NCT03332784	NCT03748979
Indication	Narcolepsy type 1	Narcolepsy type 1 and Narcolepsy type 2
Phase	Phase I	Phase I
# of Patients	N = 58	N = 57
Target Patients	Patients with narcolepsy type 1 and healthy volunteers	Patients with narcolepsy type 1, patients with narcolepsy type 2 and healthy volunteers
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Part 1: Healthy participants and healthy elderly participants Part 2: Patients with narcolepsy type 1: TAK-925 5 mg, 11.2 mg, 44.8mg or placebo with cross-over 	<ul style="list-style-type: none"> Part A: Healthy participants Part B: TAK-925 (Dose Levels 11mg, 44mg) vs. placebo in NT1 patients Part C: TAK-925 (Dose Levels 44mg, 112mg) vs. placebo in NT2 patients Part A': TAK-925 (Dose Levels 112mg) in healthy participants.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Sleep Latency in Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Karolinska Sleepiness Scale (KSS)	Sleep Latency in Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Epworth Sleepiness Scale (ESS)
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: November 2017 Study primary completion date: September 2018 <p><u>Publication:</u> https://www.professionalabstracts.com/ws2019/iPlanner/#/presentation/1832 </p>	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: November 2018 Study primary completion date: October 2019 <p><u>Publication:</u> https://onlinelibrary.wiley.com/toc/13652869/2020/29/S1 </p>

TAK-925: OREXIN 2R AGONIST, IV

Study	NCT04091425	NCT04091438
Indication	Excessive Daytime sleepiness in subjects with Obstructive Sleep Apnea	Idiopathic Hypersomnia
Phase	Phase 1	Phase 1
# of Patients	N = 25	N = 40
Target Patients	Patients with obstructive sleep apnea who are experiencing excessive daytime sleepiness despite adequate use of CPAP	Patients with Idiopathic Hypersomnia (IH)
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> 3 period, 3 treatment crossover: TAK-925 High Dose, Low dose and placebo 	<ul style="list-style-type: none"> 2 period, 2 treatment crossover: TAK-925 and placebo
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Karolinska Sleepiness Scale (KSS) 	<ul style="list-style-type: none"> Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Karolinska Sleepiness Scale (KSS) Safety, PK/PD
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: November 2019 Study primary completion date: April 2020 Results in-house awaiting publication at a future conference 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: January 2020

SOTICLESTAT (TAK-935): CH24H INHIBITOR, ORAL

Study	NCT03650452¹
Indication	Dravet Syndrome (DS) and Lennox–Gastaut syndrome (LGS)
Phase	Phase II ELEKTRA
# of Patients	N = 141
Target Patients	Pediatric patients between the ages of 2 and < 18 years of age with the diagnosis of DS or LGS demonstrating ≥3 convulsive or ≥4 drop seizures, respectively, per month during the 3 months immediately prior to screening
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • 51 DS subjects (1:1 soticlestat:placebo randomization ratio) • And 90 LGS subjects (1:1 soticlestat:placebo randomization ratio)
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary: Percent change from baseline in seizure frequency (convulsive for DS and drop for LGS)</p> <p>Key secondary endpoints:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Clinician's Clinical Global Impression of Severity and Change • Caregiver Global Impression of Change (GI-C) responses • Plasma 24S-hydroxycholesterol (24HC) levels • Safety and tolerability endpoints
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: August 2018 • Study completion date: July 2020 • Press release August 25, 2020: https://www.takeda.com/newsroom/newsreleases/2020/phase-2-elektra-study-of-soticlestat-tak-935ov935-meets-primary-endpoint-reducing-seizure-frequency-in-children-with-dravet-syndrome-or-lennox-gastaut-syndrome/

WVE-120101/120102: MHTT ASO

Study	NCT03225833¹	NCT03225846¹
Indication	Huntington's Disease	Huntington's Disease
Phase	Phase I/II PRECISION-HD1	Phase I/II PRECISION-HD2
# of Patients	N = 60	N = 60
Target Patients	Adult patients with early manifest Huntington's disease (HD) who carry a targeted single nucleotide polymorphism (SNP) rs362307 (SNP1)	Adult patients with early manifest Huntington's disease (HD) who carry a targeted single nucleotide polymorphism (SNP) rs362331 (SNP2)
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • WVE-120101 (2 mg) or placebo • WVE-120101 (4 mg) or placebo • WVE-120101 (8 mg) or placebo • WVE-120101 (16 mg) or placebo • WVE-120101 (32 mg) or placebo 	<ul style="list-style-type: none"> • WVE-120102 (2 mg) or placebo • WVE-120102 (4 mg) or placebo • WVE-120102 (8 mg) or placebo • WVE-120102 (16 mg) or placebo • WVE-120102 (32 mg) or placebo
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary outcome: Safety</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Pharmacokinetics (PK), Pharmacodynamics (PD) of single and multiple doses (Concentration of mutant huntingtin (mHTT) protein in CSF) • Clinical effect: Total Functional Capacity (TFC) <p>Other outcome measures: UHDRS, short Problems Behavior Assessment (PBA-s), magnetic resonance Imaging</p>	<p>Primary outcome: Safety</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Pharmacokinetics (PK), Pharmacodynamics (PD) of single and multiple doses (Concentration of mutant huntingtin (mHTT) protein in CSF) • Clinical effect: Total Functional Capacity (TFC) <p>Other outcome measures: UHDRS, short Problems Behavior Assessment (PBA-s), magnetic resonance Imaging</p>
Status	Study start date: July 2017	Study start date: July 2017

TAK-341¹: ALPHA-SYNUCLEIN ANTIBODY, IV

Study	NCT03272165	NCT04449484
Indication	Parkinson's Disease	Parkinson's Disease
Phase	Phase I	Phase I
# of Patients	N = 48	N = 36
Target Patients	Healthy volunteers	Patients with Parkinson's Disease
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> TAK-341 (MEDI1341) IV at a single ascending dose Placebo IV 	<p>Three cohorts of 12 patients treated over 8 weeks with three 60 minute IV infusions</p> <ul style="list-style-type: none"> Dose A of TAK-341/MEDI1341 over 8 weeks, with 4 weeks intervals Dose A of TAK-341/MEDI1341 over 8 weeks, with 4 weeks intervals Matched placebo over 8 weeks, with 4 weeks intervals
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Safety and tolerability Secondary endpoint: PK and PD (alpha-synuclein concentrations in plasma and CSF) 	<ul style="list-style-type: none"> Safety and tolerability
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2017 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: August 2020

臨床試験サマリー



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

ENTYVIO (VEDOLIZUMAB): GUT-SELECTIVE AANTEGRIN MAB

Study	NCT03657160	NCT02620046
Indication	Graft-versus-Host Disease (GvHD) prophylaxis IV	Ulcerative colitis (UC) or Crohn's disease (CD) subcutaneous (SC)
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 558	N = 692
Target Patients	Patients undergoing allogeneic hematopoietic stem cell transplantation (Allo-HSCT) in the prophylaxis of intestinal acute GvHD (aGvHD)	Patients with UC or CD who received vedolizumab SC in a prior vedolizumab SC study – long-term open-label extension
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Arm 1: Vedolizumab 300 mg at Days -1 (baseline), +13, +41, +69, +97, +125, and +153 • Arm 2: Placebo at Days -1 (baseline), +13, +41, +69, +97, +125, and +153 	<ul style="list-style-type: none"> • Group A: Vedolizumab SC 108 mg Q2W - patients from studies VISIBLE 1 (NCT02611830) and VISIBLE 2 (NCT02611817) who completed the Maintenance Period (Week 52) or were not randomized into Maintenance Period and achieved response at Week 14 after having received a third vedolizumab IV infusion at Week 6 • Group B: Vedolizumab SC 108 mg QW - patients from studies VISIBLE 1 and VISIBLE 2 who withdrew early from the Maintenance Period due to treatment failure or patients from current study who enrolled on Q2W dosing but experienced treatment failure while on study and were dose escalated to QW dosing.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Intestinal aGvHD-free survival by Day +180 after Allo-HSCT	Percentage of participants with Study Drug Related Treatment Emergent Adverse Events (AEs) and serious AEs Key secondary endpoints: long term clinical response and remission rates for UC and CD
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: February 2019 • Estimated primary completion date: FY22 	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: April 2016

ENTYVIO (VEDOLIZUMAB): GUT-SELECTIVE ANTI- α 4 β 7 INTEGRIN MAB

消化器系疾患

Study	NCT03196427
Indication	Ulcerative colitis or Crohn's disease in pediatric patients IV
Phase	Phase II (Long-term safety study)
# of Patients	N = 90
Target Patients	Pediatric patients with ulcerative colitis or Crohn's disease between 2 to 17 years old at the time of randomization for Study NCT03138655.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Arm 1 (\geq30 kg weight cohort): Vedolizumab 300 mg or 200 mg (Q8W)Arm 2 (<30 kg weight cohort): Vedolizumab 150 mg or 100 mg (Q8W)
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Percentage of participants with Treatment-Emergent Adverse Events (TEAEs)
Status	<ul style="list-style-type: none">Phase 2 start date: July 2018Study completion date: May 2020Pediatric Phase 3 to start 2021

ALOFISEL/CX601 (DARVADSTROCEL): ALLOGENEIC EXPANDED ADIPOSE-DERIVED STEM CELLS (ASC)

消化器系疾患

Study	<u>NCT03279081</u>
Indication	Complex perianal fistula(s) in patients with Crohn's disease
Phase	Phase III ADMIRE-CD II
# of Patients	N = 554
Target Patients	Patients with Crohn's disease who have complex perianal fistula(s), previously treated and have shown an inadequate response to Immunosuppressants, anti TNF, ustekinumab
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Arm 1: Cx601, adult allogeneic expanded adipose-derived stem cells (eASC 120 million cells (5 million cells per milliliter)) administered once by intralesional injectionArm 2: Placebo-matching eASCs cells administered once by intralesional administration
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary: Combined Remission, defined as:</p> <ul style="list-style-type: none">The clinical assessment of closure of all treated external openings at week 24, andAbsence of collections >2 cm (in at least 2 dimensions) confirmed by blinded central MRI assessment at Week 24. <p>Key Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none">Clinical Remission at weeks 24 and 52Time to Clinical Remission at weeks 24 and 52
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: September 2017Estimated primary completion date: FY22

VONOPRAZAN: POTASSIUM-COMPETITIVE ACID BLOCKER, ORAL

Study	<u>NCT04198363</u>
Indication	Acid related disease (adjunct to Helicobacter pylori eradication)
Phase	Phase III China
# of Patients	N = 510
Target Patients	Helicobacter pylori (HP)-positive participants who require HP eradication
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Experimental: Vonoprazan 20 mg in combination with bismuth containing quadruple therapy Active Comparator: Esomeprazole 20 mg in combination with bismuth containing quadruple therapy
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Percentage of Helicobacter pylori positive (HP+) participants with successful HP eradication at week 4 post-treatment
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: April 2020 Estimated primary completion date: FY21

TAK-721: GLUCOCORTICOSTEROID, ORAL

Study	NCT03245840
Indication	Eosinophilic Esophagitis (EoE)
Phase	Phase III
# of Patients	N = 133
Target Patients	Subjects with EoE who have completed participation in both the SHP621-301 and SHP621-302 studies – extension study
Arms/Intervention	<p>Open Label Study:</p> <ul style="list-style-type: none"> Budesonide oral suspension (BOS) (0.2 milligrams/mL) 2mg twice daily
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>To evaluate the long term safety and tolerability of budesonide oral suspension</p> <ul style="list-style-type: none"> # of participants with treatment-emergent adverse events (TEAEs) # of participants with clinically relevant changes in physical examinations, vital signs and clinical laboratory assessments Change from baseline in bone mineral density (BMD) for adolescents assessed by dual-energy x-ray absorptiometry (DXA) scan Change from baseline in adrenocorticotropichormone (ACTH) stimulation level
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2017

TAK-951: PEPTIDE AGONIST, SC

Study	NCT04486950	NCT04557189
Indication	Nausea & Vomiting	Nausea & Vomiting
Phase	Phase I	Phase IIa
# of Patients	N = 40	N = 100
Target Patients	Healthy participants	Surgical patients under general anesthesia with 3 or more Apfel risk factors
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Cohort 1: TAK-951 20 mcg or matching placebo infusion (intravenous (IV)) over 60 minutes Cohort 2: TAK-951 (dose TBD) or matching placebo infusion (IV) over 60 minutes Cohort 1: TAK-951 (dose TBD) or matching placebo infusion (IV) < 60 minutes 	<ul style="list-style-type: none"> Group A: Ondansetron placebo-matching intravenous (IV) injection, once immediately before induction of anesthesia and prophylaxis followed by TAK-951 4 mg subcutaneous (SC) injection once 30 to 45 mins before the end of surgery; Group B: Ondansetron IV 4 mg once immediately before induction of anesthesia followed by TAK-951 placebo-matching injection SC administered 30 to 45 minutes before the end of surgery
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and tolerability of IV administered TAK-951 in healthy participants	<p>Complete response in the immediate postoperative period (time frame: 6 hours post surgery)</p> <p>Percentage of participants with complete response, defined as no emesis (vomiting or retching) and no need for rescue therapy (indicated if vomiting/retching and/or nausea score ≥4 or upon participant's request), will be reported.</p> <p>The severity of nausea will be scored using a self-reported, 11-point numerical Verbal Rating Scale (VRS), where 0 represents "no nausea" and 10 represents the "worst nausea possible." Significant nausea is defined as a VRS score ≥4</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: July 2020 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2020

TAK-906: DOPAMINE D₂/D₃ RECEPTOR ANTAGONIST, ORAL

Study	<u>NCT03544229</u>
Indication	Gastroparesis
Phase	Phase II
# of Patients	N = 205
Target Patients	Patients who have symptomatic idiopathic or diabetic gastroparesis.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">• TAK 906M 5 mg capsule BID: approximately 25 subjects prior to discontinuation of randomization into this dose arm• TAK-906M 25 mg capsule BID: n = 60• TAK-906M 50 mg capsule BID: n = 60• Placebo capsule BID: n = 60
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	To assess the efficacy of treatment with 2 dose levels of TAK-906 in adult subjects with gastroparesis compared with placebo during 12 weeks of treatment
Status	<ul style="list-style-type: none">• Study start date: October 2018

TAK-954: 5-HT4-HYDROXYTRYPTAMINE RECEPTOR AGONIST, IV

Study	NCT03827655
Indication	Post-Operative Gastrointestinal Dysfunction (POGD)
Phase	Phase II
# of Patients	N = 180
Target Patients	<p>Participant is scheduled to undergo a laparoscopic-assisted or open partial small- or large-bowel resection.</p> <ul style="list-style-type: none"> Regimen 1: Placebo (NS 100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function (ie, resolution of POGD) or for up to 10 days. Regimen 2: TAK-954 (0.1 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days. Regimen 3: TAK-954 (0.5 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days. Regimen 4: TAK-954 (0.1 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily placebo infusions post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days. Regimen 5: TAK-954 (0.5 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily placebo infusions post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days.
Arms/Intervention	
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	To assess the efficacy and safety of intravenous (IV) TAK-954 for accelerating the recovery of GI function post-surgery in patients undergoing open or laparoscopic-assisted partial small- or large-bowel resection.
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: March 2018

SIBOFIMLOC (TAK-018): *FIMH ANTAGONIST, ORAL*

Study	<u>NCT03943446</u>
Indication	Prevention of the Recurrence of Postoperative Crohn's Disease (CD)
Phase	Phase II
# of Patients	N = 96
Target Patients	Documented diagnosis of CD confirmed by endoscopic biopsy before resection or by tissue obtained at resection.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">• Cohort 1: TAK-018 0.30 g Low Dose BID for up to 26 weeks• Cohort 2: TAK-018 1.5 g High Dose BID for up to 26 weeks• Placebo
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	% of participants with endoscopic recurrence of CD as assessed by Rutgeerts Grading Scale at Week 26
Status	<ul style="list-style-type: none">• Study start date: August 2020

臨床試験サマリー



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

HYQVIA (TAK-771): IVIG WITH RECOMBINANT HUMAN HYALURONIDASE, SC

血漿分画製剤

Study	NCT02549170	NCT02955355
Indication	Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy (CIDP)	Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy (CIDP)
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 174	N = 120
Target Patients	Adult subjects with a confirmed diagnosis of CIDP and who have remained on a stable dosing regimen of IV immunoglobulin G (IGIV) therapy for at least 12 weeks prior to screening.	Adult subjects who have completed Epoch 1 of Study NCT02549170 without CIDP worsening.
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Epoch 1: SC Treatment Period – Double blind assignment of HYQVIA/HyQvia or 0.25% albumin placebo solution with rHuPH2O 6 months or until relapse.Epoch 2: IV Treatment Period - Open-label phase providing IGIV for subjects who meet relapse criteria during Epoch 1.	<ul style="list-style-type: none">Subjects remain on same dosing regimen they were administered in Epoch 1 of study 161403 (1 to 2 g/kg body weight every 4 weeks). The first infusion will be at the subject's full dose; there will be no ramp-up of dose.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	To evaluate the efficacy of HYQVIA/HyQvia as a maintenance therapy for CIDP to prevent relapse of neuromuscular disability and impairment. Safety and tolerability.	To evaluate the long-term safety, tolerability, and immunogenicity of HYQVIA/HyQvia.
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: April 2016Estimated primary completion date: FY21/22	<ul style="list-style-type: none">Study start date: December 2016

HYQVIA (TAK-771): IVIG WITH RECOMBINANT HUMAN HYALURONIDASE, SC

血漿分画製剤

Study	NCT03277313	NCT03116347
Indication	Primary Immunodeficiency Diseases (PIDD)	Primary Immunodeficiency Diseases (PIDD)
Phase	Phase III	Phase IV
# of Patients	N = 44	N = 42
Target Patients	Pediatric subjects with primary immunodeficiency diseases in the US	Pediatric subjects with primary immunodeficiency diseases in the EU
Arms/Intervention	<p>Single-Group:</p> <ul style="list-style-type: none"> Epoch 1: HyQvia SC dose and ramp up for all patients; up to 6 weeks duration; patients were previously treated with IVIG or other SC immunoglobulin Epoch 2: HYQVIA treatment (final dosing); 1-3 years <ul style="list-style-type: none"> For IV-pre-treated subjects: every three or four weeks, depending on the subject's previous IV dosing schedule. For SC-pre-treated subjects: every three or four weeks, at the discretion of investigator and subject. Epoch 3: Safety Follow-Up: up to 1 year, if needed 	<p>Single-Group:</p> <ul style="list-style-type: none"> Epoch 1: HyQvia SC dose and ramp up for patients previously not treated with HyQvia Epoch 2: HyQvia dose once every three or four weeks <ul style="list-style-type: none"> For IV-pretreated subjects: every three or four weeks, depending on the subject's previous IV dosing schedule. For SC-pretreated subjects: every three or four weeks, at the discretion of investigator and subject For HyQvia pre-treated subjects: No change in frequency of administration Epoch 3: Safety Follow-Up: up to 1 year, if needed
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary: Efficacy - rate of acute serious bacterial infections per participant per year.</p> <p>Secondary: Safety, tolerability, immunogenicity, efficacy, PK, health-related Quality of Life.</p>	<p>Primary: Safety</p> <p>Secondary: Tolerability, immunogenicity, efficacy, health-related Quality of Life.</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: September 2017 Estimated primary completion date: FY23 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: June 2017 Estimated primary completion date: FY23

GLASSIA (TAK-670): HUMAN ALPHA1-PROTEINASE INHIBITOR, IV

Study	<u>NCT02525861</u>
Indication	Chronic augmentation and maintenance therapy in adults with clinically evident emphysema due to severe congenital deficiency of Alpha1-Proteinase Inhibitor (A1PI)
Phase	Phase III/IV
# of Patients	N = 36
Target Patients	A1PI deficient subjects
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> • Arm 1: GLASSIA lot with particle loads representing the high end within the normal range observed in GLASSIA lots manufactured • Arm 2: GLASSIA lot with particle loads representing the low end within the normal range observed in GLASSIA lots manufactured
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ol style="list-style-type: none"> 1. To evaluate the effectiveness of the use of 5-micron in-line filter on the safety and potential immunogenicity of GLASSIA. 2. To determine the effects of weekly IV augmentation therapy with GLASSIA at a dosage of 60 mg/kg BW on antigenic and functional A1PI levels in epithelial lining fluid (ELF) in subjects with congenital A1PI deficiency. 3. To collect additional safety information for GLASSIA.
Status	<ul style="list-style-type: none"> • Study start date: April 2016 • Primary completion date: July 2020

COVIG-19: ANTI-COVID-19 HYPERIMMUNE INTRAVENOUS GLOBULIN

Study	NCT04546581¹
Indication	Treatment of COVID-19 in hospitalized patients with moderate disease
Phase	Phase III
# of Patients	N = 500
Target Patients	Adult hospitalized COVID-19 patients with moderate disease with duration of symptoms ≤ 12 days
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm A: Hyperimmune globulin to SARS-CoV-2(hIVIG)² single dose of 400 mg/kg body weight, to a maximum dose of 40 g or 400 mL (i.e. capped at a body weight of 100kg) + remdesivir Arm B: Placebo (normal saline) + remdesivir
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary Endpoint: Clinical Status at Day 7 According to a 7-point Ordinal Outcome Scale</p> <p>7. Death 6. End-organ failure 5. Life-threatening end-organ dysfunction; 4. Serious end-organ dysfunction; 3. Moderate end-organ dysfunction; 2. Limiting symptoms due to COVID-19; 1. No limiting symptoms due to COVID-19</p> <p>(Outcome is reported as the percent of participants in each of 7 categories)</p> <p>Key Secondary Endpoints: mortality, adverse events, and days of hospitalization</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: October 2020 Estimated primary completion date: FY20

151 | 1. Sponsor: The National Institute of Allergy and Infectious Diseases (NIAID), part of the National Institutes of Health (NIH)

2. Arm A represents hIVIG produced by four manufacturers (Takeda, CSL, Grifols, and Emergent). The hIVIG products will be pooled for the planned efficacy and safety analyses.

臨床試験サマリー



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

TAK-003: LIVE ATTENUATED TETRAVALENT VACCINE FOR PREVENTION OF DENGUE DISEASE

ワクチン

Study	NCT02747927
Indication	The prevention of dengue disease caused by any dengue virus serotype in individuals 4 years to 60 years of age
Phase	Phase III Tetraivalent Immunization against Dengue Efficacy Study (TIDES)
# of Patients	N = 20,100
Target Patients	Healthy children aged 4 to 16-year-old in dengue-endemic countries in Latin America and Asia
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none">Randomized 2:1 to receive either TAK-003 or placebo on Day 1 and Day 90
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none">Efficacy: Onset of protection 30 days post 2nd dose in all (seronegative and seropositive)<ul style="list-style-type: none">Primary endpoint: ≥70% efficacy against all symptomatic dengue fever caused by any strainSecondary endpoints:<ul style="list-style-type: none">≥70% efficacy individual strains≥60% efficacy in seronegativesSafety:<ul style="list-style-type: none">Comparable to other live attenuated viral vaccines (e.g. MMR, YF, Varicella)No disease enhancement in partially protected individuals
Status	<ul style="list-style-type: none">Study start date: September 2016Primary completion date: July 2018Estimated completion date: FY24/25 (following booster evaluation)24 month data presented November 2020 at American Society of Tropical Medicine and Hygiene Annual Meeting <p>Publication:</p> <ul style="list-style-type: none">Biswal S, et al. <i>N Engl J Med.</i> 2019; 381:2009-2019.Biswal S, et al. <i>Lancet.</i> 2020; 395(10234):1423-1433.

VIRUS-LIKE PARTICLE VACCINE

Study	NCT02669121	NCT03039790
Indication	For active immunization for the prevention of acute gastroenteritis caused by norovirus (NoV)	For active immunization for the prevention of acute gastroenteritis caused by norovirus (NoV)
Phase	Phase II	Phase II
# of Patients	N = 4176	up to N = 575
Target Patients	Healthy adults (18 to 49 years of age)	Healthy adults >18 years who received at least one dose of NoV GI.1/GII.4 Bivalent Virus-Like Particle Vaccine in previous studies NOR-107, NOR-210 and NOR-204
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Arm 1: NoV 15µg GI.1/50µg GII.4 bivalent virus-like particle (VLP) vaccine, 0.5 mL intramuscularly (IM), once, on Day 1 Arm 2: NoV vaccine placebo-matching solution (0.9% sodium chloride), 0.5 mL intramuscularly (IM), once, on Day 1 	<ul style="list-style-type: none"> No NoV vaccine injection administered. Long-Term Immunogenicity Follow-up Trial of Adult and Elderly Subjects (followed up to 5y post-primary vaccination). Vaccine formulation according to parent trials.
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> Primary endpoint: Percentage of Participants with Moderate or Severe Acute Gastroenteritis (AGE) Occurring >7 Days After Dosing Due to GI.1 or GII.4 NoV Strains (excluding Co-infection due to Salmonella, Shigella, or Campylobacter) Key secondary: Percentage of Participants with Moderate or Severe AGE Occurring >7 Days After Dosing Due to Any NoV Strains (including/excluding Co-infection) and Due to GI.1 or GII.4 NoV Strains (including Co-infection) 	<ul style="list-style-type: none"> Primary endpoint: Geometric Mean Blocking Titers 50 percent (%) (GMBT50) of Anti-norovirus GI.1 VLP / GII.4 VLP Antibodies as measured by the histo-blood group antigen (HBGA) blocking assay. Secondary endpoint: Geometric Mean Titers (GMT) of Anti-norovirus GI.1 VLP / GII.4 VLP Antibodies as measured by total immunoglobulin (pan-Ig) enzyme-linked immunoassay (ELISA).
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: February 2016 Study primary completion date: June 2018 <p>Publication:</p> <ul style="list-style-type: none"> Sherwood J, et al. <i>Vaccine</i> 2020; 38(41):6442-6449. 	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: February 2017

TAK-426: PURIFIED INACTIVATED ZIKA VIRUS VACCINE PIZV

Study	<u>NCT03343626</u>
Indication	For active immunization for prevention of disease caused by Zika virus (ZIKV)
Phase	Phase I
# of Patients	N = 271
Target Patients	Healthy Adult Participants aged 18-49-years of age
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> Placebo: TAK-426 placebo-matching injection, intramuscular, once on Days 1 and 29 Low Dose: PIZV 2 microgram (mcg) (PIZV 0.5 milliliter (mL), 2 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29) Medium Dose: PIZV 5 mcg (PIZV 0.5 mL, 5 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29) High Dose: PIZV 10 mcg (PIZV 0.5 mL, 10 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29)
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety, immunogenicity and dose ranging study
Status	<ul style="list-style-type: none"> Study start date: November 2017 Presentation at ASTHM 2019 (Htay Htay Han #215, #1948) <ul style="list-style-type: none"> https://www.astmh.org/ASTMH/media/2019-Annual-Meeting/ASTMH-2019-Abstract-Book.pdf

Better Health, Brighter Future

付録 調整表・略語集



「Core」と「実質的な成長」の定義



当社は、事業の計画策定および業績評価において、「実質的な成長」（Underlying Growth）の概念を採用しております。

「実質的な成長」は、当年度と前年度（四半期もしくは年間）の業績を共通の基準で比較するものであり、マネジメントによる業績評価に使用されています。これら共通の基準で比較される業績は、年間計画レートを用いた為替レートを一定として、事業等の売却影響およびその他の非定常的もしくは特別な事象に基づく影響、本業に起因しない（ノン・コア）事象による影響を控除し算定されます。当社は、この「実質的な成長」が、事業活動のパフォーマンスを表す共通の基準を提供するため、投資家に有用であると考えています。なお、本指標は、国際会計基準(IFRS)に準拠したものではありません。

当社は、「Underlying Revenue Growth」（実質的な売上収益の成長）、「Underlying Core Operating Profit Growth」（実質的なCore営業利益の成長）および「Underlying Core EPS Growth」（実質的なCore EPSの成長）を重要な財務指標としています。

実質的な売上収益は、為替レートを一定として、財務ベースの売上収益に、報告期間における非定常的な事象に基づく影響および事業等の売却影響を調整して計算します。

実質的なCore営業利益は、為替レートを一定として、Core営業利益（以下に定義）に、報告期間における事業等の売却影響を調整して計算します。

Core営業利益は、純利益から、法人所得税費用、持分法にかかる投資損益、金融損益、その他の営業収益およびその他の営業費用、製品に係る無形資産償却費及び減損損失を控除して算出します。その他、企業買収に係る会計処理の影響や買収関連費用など、本業に起因しない（ノン・コア）事象による影響を調整します。

実質的なCore EPSの算定にあたっては、為替レートを一定として、純利益から、事業等の売却影響、およびCore営業利益の算出において控除された項目と営業利益以下の各科目のうち、重要性のある、非定常的もしくは特別な事象に基づく影響、本業に起因しない（ノン・コア）事象による影響を調整します。これらには、条件付対価に係る公正価値変動（時間的価値の変動を含む）影響などが含まれます。さらに、これらの調整項目に係る税金影響を控除した後、比較年度末の自己株式控除後の発行済株式総数で除して算定します。

2014年度 財務ベースから実質ベースへの調整



億円	2013年度	2014年度	成長率
売上収益	16,917	17,788	+5.1%
為替影響	60	(400)	
製品売却	(221)	(160)	
実質的な売上	16,757	17,219	実質的な成長 +2.8%
営業利益	1,393	△1,293	—
アクトスに関する一時要因		2,741	
無形資産の償却	1,197	1,238	
無形資産の減損	231	635	
遊休不動産売却	(67)	(328)	
事業構造再編費用	217	312	
条件付対価	56	(513)	
訴訟費用等	116	92	
Core Earnings	3,142	2,883	△8.2%
為替影響	30	138	
製品売却、その他	(161)	(73)	
実質的なCore Earnings	3,011	2,949	実質的な成長 △2.1%

2019年度財務ベースからCore/Underlying Coreへの調整表



(億円)	財務ベース	財務ベースからCoreへの調整							Core	Coreから実質ベースへの調整		Underlying Core (実質ベース)
		無形資産に係る償却費および減損損失	その他の営業収益／費用	シャイアー社買収関連費用	シャイアー社に係る企業結合会計影響	スイス税制改革	テバ合弁会社に係る会計処理影響	その他		為替影響	事業等の売却影響	
売上収益	32,912								32,912	1,024	△305	
売上原価	△10,898				1,995				△8,903	△279	50	
売上総利益	22,014				1,995				24,009	744	△255	
販売費及び一般管理費	△9,647		55	24					△9,568	△290		
研究開発費	△4,924		104	1					△4,819	△89		
製品に係る無形資産償却費	△4,121	870		3,251					—			
製品に係る無形資産減損損失	△433	433							—			
その他の営業収益	602		△460			△142			—			
その他の営業費用	△2,487		1,133	1,354					—			
営業利益	1,004	1,303	673	1,512	5,271		△142		9,622	365	△255	
対売上収益比率	3.1%								29.2%			28.9%
金融損益	△1,372		71	144			△201	△1,357	53			
持分法損益	△240					322		82	△0			
税引前当期利益	△608	1,303	673	1,583	5,416		180	△201	8,347	418	△255	
法人所得稅費用	1,050	△317	△108	△292	△982	△946	△55	△675	△2,324	△100	59	
非支配持分	△0							△0				
当期利益	442	987	565	1,291	4,434	△946	125	△876	6,022	318	△196	
EPS (円)	28								387	21	△13	395
株式数 (百万)	1,557								1,557			1,555

159 | 注: 2019年度の実質ベースの実績は、2019年度の実質ベース計算において適用した事業等の売却影響を調整し、2020年5月13日に公表したものです。

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

AD	Alzheimer's disease (アルツハイマー病)	CTTP	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性の血栓性血小板減少性紫斑病)	iTPP	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	PK	pharmacokinetics (薬物動態)
ADC	antibody drug conjugate (抗体薬物複合体)	DAAO	D-amino acid oxidase (D-アミノ酸酸化酵素)	IV	intravenous (静脈投与)	POC	proof of concept (概念実証)
ADHD	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	DEE	developmental and epileptic encephalopathies (けいれん性てんかん重積状態)	iPSC	induced pluripotent stem cells (人工多能性幹細胞)	POGD	post-operative gastrointestinal dysfunction (術後消化器機能障害)
AHA	acquired hemophilia A (後天性血友病A)	DLBCL	diffuse large B cell lymphoma (びまん性大細胞型B細胞リンパ腫)	L-ASA	low dose aspirin (低用量アスピリン)	POI	post-operative ileus (術後イレウス)
ALK	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	DU	duodenal ulcer (十二指腸潰瘍)	LBD	Lewy Body Dementia (レビー小体病)	PTCL	peripheral T-cell lymphoma (末梢性T細胞リンパ腫)
ALCL	anaplastic large-cell lymphoma (未分化大細胞型リンパ腫)	Dx	diagnosis (診断)	LB AML	Low-Blast Acute Myeloid Leukemia (低blast急性骨髓性白血病)	PTH	parathyroid hormone (副甲状腺ホルモン)
AML	acute myeloid leukemia (急性骨髓性白血病)	EDS	excessive daytime sleepiness (日中の過度の眠気)	LSD1	Lysine specific demethylase 1 (リジン特異的脱メチル化酵素1)	R/R	relapsed/refractory (再発/難治)
ASCT	autologous stem cell transplant (自家幹細胞移植)	EE H	erosive esophagitis healing (びらん性食道炎の治癒)	LCM	lifecycle management (ライフ・サイクル・マネジメント)	RCC	renal cell cancer (腎細胞がん)
ARD	acid-related diseases (酸関連疾患)	EE M	erosive esophagitis maintenance (びらん性食道炎の再発予防)	mAb	monoclonal antibodies (モノクローナル抗体)	RTK	receptor tyrosine kinase (受容体チロシンキナーゼ)
BLA	biologics license application (生物製剤承認申請)	EFI	enteral feeding intolerance (経腸栄養不耐性)	MAOB	monoamine oxidase B (モノアミン酸化酵素B)	sALCL	systemic anaplastic large cell lymphoma (全身性未分化大細胞リンパ腫)
BBB	blood brain barrier (血液脳関門)	EGFR	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	MG	myesthenia gravis (重症筋無力症)	SBS	short bowel syndrome (短腸症候群)
BMA	bradykinin mediated angioedema (ブラジキニン介在性血管浮腫)	EOE	eosinophilic esophagitis (好酸球性食道炎)	MLD	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	SC	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
BTK	Bruton's tyrosine kinase (ブルトン型チロシンキナーゼ)	ESCC	esophageal squamous-cell carcinoma (食道扁平上皮がん)	MM	multiple myeloma (多発性骨髓腫)	SCD	sickle cell disease (錆状赤血球症)
BOS	budesonide oral solution (ブデソニド経口懸濁液)	FL	front line (フロントライン適応)	NAE	NEDD8 activating enzyme (NEDD8活性化酵素)	SCT	stem cell transplant (幹細胞移植)
CAR-T	Chimeric antigen receptor-T (次世代型キメラ抗原受容体発現T細胞)	FSI	first subject in (最初の患者登録)	ND	newly diagnosed (新たに診断された)	SCZ	schizophrenia (統合失調症)
CD	Crohn's disease (クローン病)	GCC	guanylyl cyclase C (グアニル酸シクラーゼC)	NDA	new drug application (新薬承認申請)	SID	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
CHAWI	congenital hemophilia A with inhibitors (インヒビター保有先天性血友病A)	GERD	gastroesophageal reflux disease (胃食道逆流症)	Neg	negative (陰性)	SLE	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
CIAS	cognitive impairment associated with schizophrenia (統合失調症に伴う認知障害)	GI	gastrointestinal (胃腸)	NERD	non-erosive reflux disease (非びらん性胃食道逆流症)	sq	squamous (扁平上皮)
CIDP	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髓性多発根神経炎)	GnRH	gonadotropin-releasing hormone (ゴナドトロビン放出ホルモン)	NHL	non-Hodgkin's lymphoma (非ホジキンリンパ腫)	STING	stimulator of interferon genes (インターフェロン遺伝子刺激因子)
CLL	chronic lymphocytic leukemia (慢性リンパ性白血病)	GU	gastric ulcer (胃潰瘍)	NK	natural killer (ナチュラルキラー)	SUMO	small ubiquitin-related modifier (低分子ユビキチン様修飾因子)
CML	chronic myeloid leukemia (慢性骨髓性白血病)	GvHD	graft versus host disease (移植片対宿主病)	NME	new molecular entity (新規候補物質)	TESD	treatment emergent sexual dysfunction (治療に起因する性機能障害)
CMMI	chronic myelomonocytic leukemia (慢性骨髄単球性白血病)	HAE	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	NSCLC	non-small cell lung cancer (非小細胞肺がん)	TKI	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
CMV	cytomegalovirus(サイトメガロウイルス)	H2H	head to head (直接比較)	NSCT	non stem cell transplant (非幹細胞移植)	TRD	treatment resistant depression (治療抵抗性うつ病)
CSF	cerebrospinal fluid (脳脊髄液)	HCC	hepatocellular carcinoma (肝細胞がん)	NS	negative symptoms (陰性症状)	UC	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
CNS	central nervous system (中枢神経系)	HemA	hemophilia A (血友病A)	NT1	Narcolepsy Type 1 (ナルコレプシータイプ1)	vWD	von Willebrand disease (ファン・ヴィレブランド病)
CPF	Complex perianal fistulas (肛門周囲複雑瘻孔)	HER2	human epidermal growth factor receptor 2 (ヒト上皮成長因子受容体2)	ORR	overall response rate (全奏効率)		
CRL	complete response letter (審査完了報告通知)	HL	Hodgkin's lymphoma (ホジキンリンパ腫)	PARP	poly (ADP-ribose) polymerase (ポリADPリボースポリメラーゼ)		
CRPS	complex regional pain syndrome (複合性局所疼痛症候群)	HR MDS	high risk myelodysplastic syndromes (高リスク骨髄異形成症候群)	PBS	phosphate buffered saline (リン酸緩衝生理食塩水)		
CTCL	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	IBD	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	PCAB	potassium competitive acid blocker (カリウムイオン競合型アシドプロッカー)		
		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)		
		iNHL	Indolent non-Hodgkin's Lymphoma (低悪性度非ホジキンリンパ腫)	PID	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)		
		I/O	immuno-oncology (がん免疫治療)				



© 2020 Takeda Pharmaceutical Company Limited. All rights reserved