



## サイエンスから 人生を変えうる高度に革新的な医薬品への変換



アンディ・プランプ, MD, PhD

R&D プレジデント  
武田薬品工業株式会社  
東京  
2019年11月21日

Better Health, Brighter Future

## 本日の内容



# 1

ポートフォリオと  
パイプラインが  
成長を牽引し、  
主要特許の満了を  
オフセット

# 2

持続可能な未来を  
志向して  
新規作用機序  
および能力開発に  
投資

# 3

権限移譲、説明責任、  
機敏性を備えた  
環境を整備



## 3つの重点領域における 患者中心でサイエンス・ファーストの取り組み



### 革新的なバイオファーマ



### 血漿分画製剤



希少疾患への重点的  
取り組みを補完

### ワクチンビジネスユニット



差別化された  
デング熱ワクチン

4

## 患者さんのための更なる取り組み



8



ピボタル試験中のBIC/FIC  
ポテンシャルを有する  
新規候補物質<sup>1</sup>



~40

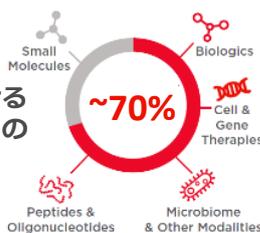
臨床試験段階にある  
新規候補薬物

~4,500

グローバルでの  
研究開発部門の従業員



研究における  
モダリティの  
多様化



~50%

オーファンドラッグ  
指定を受けた  
パイプライン<sup>2</sup>



200+

積極的な  
パートナーシップ

1. BIC/FIC ベストインクラス/ファーストインクラス（レルゴリクス含む）、2018年度は3つの新規候補物質のピボタル試験を実施  
2. 2018年のオーファンドラッグ指定は15品目であったのに対し、2019年は31品目（Ph1~ライフサイクルマネジメント段階にある品目のうち、1適応症以上のオーファンドラッグ指定を受けたもの）

5

# 果敢にリスクをとることにより、明確に差別化



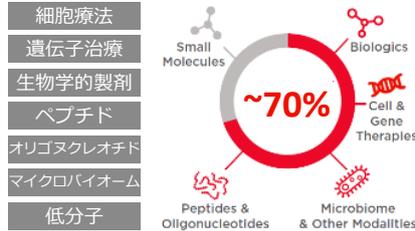
「脳内におけるオレキシン産生ニューロンの欠損によって引き起こされるナルコレプシータイプ1 (NT1) の患者さんには、大きな治療改善ニーズが存在」



本田真医師、公益財団法人  
東京都医学総合研究所の  
睡眠障害プロジェクトリーダー

世界睡眠学会 (World Sleep conference) でデータ発表

ヒトでバリデーション  
された新規標的機序



モダリティの多様化

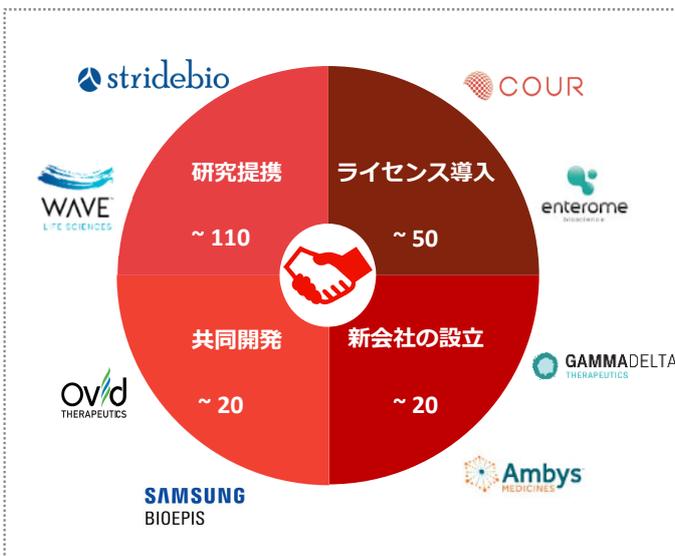
- 5 加速プログラム
- 20 2018年度以降に開発段階が進捗した新機候補物質
- 19 2018年度以降に中止または外部化された効能

迅速なGO/NO-GO  
の意思決定

# 差別化されたパートナーシップにより最高のサイエンスへと洗練



厳選されたパートナーシップ\*



\* 外部化案件やベンチャー投資は含まない

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

上場および非上場企業の株式合計額  
**>10億米ドル**

# 由来の内外を問わずイノベーションを志向



	特徴	タケダ	パートナー由来
<p>↑</p> <p>タケダが 開発&amp;商用化</p> <p>↓</p> <p>タケダと パートナーが 共同で 開発&amp;商用化</p>	<p>バリデーションが進んでいる かつ/あるいは 低めの開発コスト</p> <hr/> <p>科学的に不確実 かつ/あるいは 高い開発コスト</p>	TAK-925, TAK-994 ナルコレプシー	teva TAK-573 多発性骨髄腫
		TAK-951 嘔吐症状	Memorial Sloan Kettering Cancer Center CD19 1XX (CAR-T)
		TAK-924 骨髄異形成症候群	PVP BIOLOGICS Kuma-062 セリアック病
		精神疾患領域のアセット	JENALI THERAPEUTICS アルツハイマー病

代表的な例のみ記載

# 年間45億米ドルの研究開発投資額に対してさらなるリターンを推進



## 優先順位付けされたR&Dポートフォリオ

## 柔軟なR&Dファンディング・モデル



バランスの取れた支出

内部での支出および  
インフラを最小化



対象患者の絞り込み

比較的小規模な臨床試験、低コスト化、  
独占販売期間長期化のポテンシャル



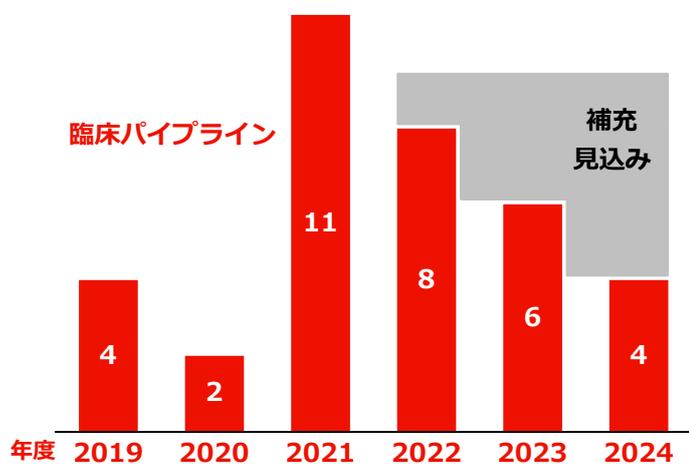
パートナーシップ・モデル

成功に基づいた  
マイルストーン支払い

# 持続可能なパイプラインを供給する研究エンジン



## 新規候補物質のピボタル試験開始予定（年度別）



注：データの読み出しが成功すると想定しての予測

## 生産性の向上

- 研究活動の成果として、2019年度中に約18課題がポートフォリオエントリーの見込み
- 細胞療法および遺伝子治療での能力強化による生産性向上の可能性
- パートナーシップの活用による最高の臨床または非臨床イノベーションへのアクセス

# 短期の成長を支えるパイプラインへの投資



## ウェーブ 1

イノベーションの拡張

新規候補物質



# グローバルブランドの拡大



## 厳選されたグローバル成長ブランド

治療疾患領域	治療薬剤	新規の適応/地理的拡大	目標 (年度)
オンコロジー	ALUNBRIG BRIGATINIB NINLARO (niraparib, cabozantinib)	非小細胞肺がんのファーストライン	2020
		初発の多発性骨髄腫患者における維持療法 (自家造血幹細胞移植未実施あるいは実施後)	2020 / 2022
希少疾患	TAKHZYRO tirabuzinib, tyrosinase vonvendi *	ブラジキニン介在性血管浮腫	2024
		フォン・ヴィレブランド病の予防	2021
消化器系疾患	Entyvio vedolizumab ALOFISEL	潰瘍性大腸炎、クローン病 (皮下投与製剤)	2019 / 2020
		移植片対宿主病 (予防)	2022
		肛門周囲複雑瘻孔	2021

## 厳選された地域拡大

地域	治療薬剤	地域	治療薬剤
中国	Entyvio vedolizumab ALUNBRIG BRIGATINIB TAKHZYRO tirabuzinib, tyrosinase VPRIV velisglucosylase alpha for injection ADYNOVATE [Antihemophilic Factor (Recombinant), PEGylated]	日本	Takecab® relugolix, cabozantinib, niraparib

\* VONVENDIはグローバルブランドとして新登場  
2019年11月14日時点での予測

# ウェーブ1の新規候補物質 各品目ピーク売上の合計は100億ドルを超えるポテンシャル



承認目標<sup>1</sup> → 2020年度 2021年度 2022年度 2023年度 2024年度

オンコロジー	TAK-788 <sup>2</sup> 2L NSCLC	TAK-007 Hematologic malignancies	TAK-924 AML	14品目の新規候補物質 が上市の可能性 患者さんの標準治療を 進化させるような ベストインクラス または ファーストインクラスの 治療薬となる ポテンシャルを有する
	TAK-924 <sup>2</sup> HR-MDS	TAK-788 1L NSCLC		
希少疾患 免疫 血液 代謝	TAK-620 CMV infect. in transplant	TAK-611 MLD (IT)	TAK-607 Complications of prematurity	
	TAK-609 Hunter CNS (IT)	TAK-755 cTTP		
ニューロサイエンス		TAK-935 DEE	Orexin2R-ag (TAK-925/994) Narcolepsy T1	
消化器系疾患	TAK-721 EOE			
ワクチン	TAK-003 Dengue Vaccine			

100億ドル超のピーク売上には成功確率は織り込んでいない  
1. データの読み出しにより予測される承認取得のタイミング; 一部のウェーブ1品目は承認の加速を想定  
2. Ph2データでの申請を想定した承認見込み時期

少なくとも一つの効能が希少疾患を含む可能性あり

2019年11月14日時点での見込み





## ウェーブ 2

新規作用機序

次世代基盤技術

# 新規作用機序の臨床パイプラインによる推進

承認目標 <sup>1</sup>	2025年度以降			
<b>オンコロジー</b>	<b>TAK-164</b> GI malignancies	<b>TAK-252</b> Solid tumors		
	<b>TAK-573</b> R/R MM	<b>TAK-981</b> Multiple cancers		
<b>希少疾患</b> 免疫 血液 代謝	<b>TAK-079<sup>2</sup></b> MG, ITP	<b>TAK-754</b> HemA	<b>TAK-755</b> ITTP, SCD	
	<b>TAK-531</b> Hunter CNS			
<b>ニューロサイエンス</b>	<b>TAK-341</b> Parkinson's Disease	<b>Orexin2R-ag</b> Sleep Disorders	<b>TAK-041</b> CIAS NS	
	<b>TAK-418</b> Kabuki Syndrome	<b>TAK-653</b> TRD	<b>TAK-831</b> CIAS NS	
	<b>WVE-120101</b> Huntington's Disease	<b>WVE-120102</b> Huntington's Disease		
<b>消化器系疾患</b>	<b>Kuma062</b> Celiac Disease	<b>TAK-101</b> Celiac Disease	<b>TAK-018</b> Crohn's Disease (post-op and ileitis)	<b>TAK-671</b> Acute Pancreatitis
	<b>TAK-954</b> POGD	<b>TAK-906</b> Gastroparesis	<b>TAK-951</b> Nausea & vomiting	
<b>ワクチン</b>	<b>TAK-214</b> Norovirus Vaccine	<b>TAK-426</b> Zika Vaccine	<b>TAK-021</b> EV71 Vaccine	

革新的で治癒も期待できる新規候補物質で構成される豊富な早期臨床パイプライン

1. 一部のウェーブ 2 品目は画期的なデータがもたらされた場合にはウェーブ 1 に加速される可能性あり  
 2. TAK-079は希少疾患の重症筋無力症および免疫性血小板減少性紫斑病で開発の予定（患者投与開始は2019年度下期の見込み）

少なくとも一つの効能が希少疾患を含む可能性あり

2019年11月14日時点での見込み

# …そして、次世代の基盤技術



承認目標 →

2025年度以降

<p><b>オンコロジー</b></p>	<p><b>細胞療法および免疫関連</b></p> <p>CAR-T MSKCC, Noile-immune T-CRA, タケダ CAR-NK MD Anderson</p> <p>GammaDelta CAR-T GammaDelta Tx Conditional T cell engagers Maverick</p>	<p><b>標的化先天性免疫調節</b></p> <p>Attenukine テバ STING CuraDev, タケダ SUMOylation タケダ</p>	<p><b>次世代チェックポイントモジュレータ</b></p> <p>Agonist-redirected checkpoints Shattuck Humabodies Crescendo</p>	<p>細胞療法や遺伝子治療 その他 多様なモダリティの ポテンシャルも活用</p>
<p><b>希少疾患</b></p> <p>免疫 血液 代謝</p>	<p><b>遺伝子治療</b></p> <p>血友病 ライソゾーム病</p>			
<p><b>ニューロサイエンス</b></p>	<p><b>遺伝子治療</b></p> <p>神経変性疾患 StrideBio</p>	<p><b>その他の基盤技術</b></p> <p>RNA調節 Wave, Skyhawk 抗体輸送媒体 Denali</p>		
<p><b>消化器系疾患</b></p>	<p><b>遺伝子治療</b></p> <p>肝臓 Ambys</p>	<p><b>マイクロバイオーム</b></p> <p>FIN-524 Finch 微生物コンソーシアム NuBiyota</p>	<p><b>細胞療法</b></p> <p>Ambys</p>	

一部のウェーブ 2 品目は画期的なデータがもたらされた場合にはウェーブ 1 に加速される可能性あり

2019年11月14日時点での見込み

# タケダを成功に導くための能力への投資



<p><b>細胞療法</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>2020年度末までに5つの臨床プログラム</li> <li>既製品(“Off-the-shelf”)の細胞療法など、既存のものを打ち砕く力のある基盤技術</li> </ul>	
<p><b>遺伝子治療</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>ワールドクラスの遺伝子治療薬の製造</li> <li>パートナーシップを介したイノベーションへのアクセス (例: Stridebio, Ambys)</li> </ul>	
<p><b>データサイエンス</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>リアルワールドデータを活用して、臨床開発を加速 (例: TAK-788)</li> <li>機械学習を利用して、希少疾患の患者さんを特定</li> </ul>	

## タケダで働く人々へのコミットメント



## 統合プロセスを通してタケダの基本精神を体現



**誠実**

INTEGRITY

**公正**

Fairness

**正直**

Honesty

**不屈**

Perseverance

**2018年12月**  
リーダーシップチームおよび  
R&Dオペレーティングモデルを発表

**2019年4月**  
パイプラインとポートフォリオを  
組み合わせた優先順位の決定

**2019年8月**  
すべてのR&D従業員に  
雇用形態について通知\*



\*法的に問題がない場合

# タケダのビジョンを実行する強力なリーダーシップ



アシット・バリク  
消化器系疾患領域ユニット、  
ヘッド



フィル・ローランズ  
オンコロジー領域ユニット、  
ヘッド



ダン・カラン  
希少疾患領域ユニット、  
ヘッド



エミリアンジェロ・ラッティ  
ニューロサイエンス領域  
ユニット、ヘッド



サラ・シーク  
ニューロサイエンス領域  
ユニット、ヘッド\*

## 新たな任命

\*サラ・シークは11月25日付で退任するエミリアンジェロ・ラッティの後任

†レギュラトリ、グローバル患者安全性評価、開発オペレーションおよび臨床サプライチェーンを含む



スティーブ・ヒッチコック  
リサーチ、ヘッド



ネアード・グルムサ  
エクスターナルイノベーション  
センター、ヘッド



ジョージア・キレステイ  
R&Dチーフオペレーティング  
オフィサー



アン・ヘザリントン  
データサイエンスインス  
ティテュート、ヘッド



ヴォルフラム・ノフザフト  
チーフメディカルオフィサー



ステファン・ウィルト  
ファーマシューティカル  
サイエンス&  
トランスレーショナル  
エンジンセルセラピー、  
ヘッド



ジェレミー・チャドウィック  
グローバルディベロップ  
メントオフィス、ヘッド†



ヴォルフガング・ハッケル  
グローバルR&D  
ファイナンス、ヘッド



エリカ・マダー  
グローバルR&D HR、ヘッド



コリーン・ボレガード  
グローバルR&D  
コミュニケーション、ヘッド



藤本利夫  
湘南アイパーク (iPark)、  
ジェネラルマネージャー

# タケダで働く人々への我々のコミットメントに対する認識



# 当社は短期および持続的成長を実現できるポジションにある



ウェブ 1<sup>1</sup>

ウェブ 2<sup>2</sup>

臨床段階新規候補物質

基盤技術

承認目標	2020年度	2021年度	2022年度	2023年度	2024年度	2025年度以降									
<b>オンコロジー</b>	TAK-788 <sup>3</sup> 2L NSCLC	TAK-924 <sup>3</sup> HR-MDS	TAK-007 Hematologic malignancies	TAK-788 1L NSCLC	TAK-924 AML	TAK-164 GI malignancies	TAK-252 Solid tumors	TAK-573 R/R MM	TAK-981 Multiple cancers	細胞療法 および 免疫誘導	標的化先天性 免疫調節	次世代 チェック ポイント モジュレータ			
<b>希少疾患</b> 免疫 血液 代謝	TAK-620 CMV infect. in transplant	TAK-609 Hunter CNS (IT)	TAK-611 MLD (IT)	TAK-755 cTTP	TAK-607 Complications of prematurity	TAK-079 <sup>4</sup> MG, ITP	TAK-754 HemA	TAK-755 iTTP, SCD	TAK-531 Hunter CNS	遺伝子治療					
<b>ニューロサイエンス</b>			TAK-935 DEE	Orexin2R-ag (TAK-925/994) Narcolepsy T1		TAK-341 Parkinson's Disease	Orexin2R-ag Sleep Disorders	TAK-041 CIAS NS	TAK-418 Kabuki Syndrome	TAK-653 TRD	TAK-831 CIAS NS	遺伝子治療	その他の 基盤技術 RNA調節 抗体輸送媒体		
<b>消化器系疾患</b>	TAK-721 EoE					Kuma062 Celiac Disease	TAK-101 Celiac Disease	TAK-018 Crohn's Disease (post-op and ileitis)	TAK-671 Acute Pancreatitis	TAK-954 POGD	TAK-906 Gastroparesis	TAK-951 Nausea & vomiting	遺伝子治療	マイクロ バイオーム	細胞療法
<b>ワクチン</b>		TAK-003 Dengue Vaccine				TAK-214 Norovirus Vaccine	TAK-426 Zika Vaccine	TAK-021 EV71 vaccine							

- データの読み出しにより予測される承認取得のタイミング；一部のウェブ 1 品目は迅速承認を想定
- 一部のウェブ 2 品目は画期的なデータがもたらされた場合にはウェブ 1 に加速される可能性あり
- Ph2データでの申請を想定した承認見込み時期
- TAK-079は希少疾患の重症筋無力症および免疫性血小板減少性紫斑病で開発の予定（患者投与開始は2019年度下期の見込み）

少なくとも一つの効能が希少疾患を含む可能性あり

2019年11月14日時点での見込み