



短腸症候群およびクローン病に伴う複雑痔瘻



2022年2月24日

本資料は、株主、投資家及びアナリストの皆様にご提供することを目的として作成及び配布されるものであり、特定の医薬品等の購入・処方等を促すためのものではありません。
本資料は、医療関係者、患者さん、その他上記対象者以外の方を対象にしておらず、上記対象者以外の方による利用、及び、上記目的以外の目的での利用を禁止いたします。

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あります。

武田薬品が直接的に、又は間接的に投資している会社は別々の会社になります。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得ます。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得ます。

本資料に記載されている製品名は、武田薬品または各所有者の商標または登録商標です。

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ありません。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、日本及び米国の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、世界的な医療制度改革を含む関連法規の変更、臨床的成功及び規制当局による判断とその時期の不確実性を含む新製品開発に内在する困難、新製品および既存製品の商業的成功の不確実性、製造における困難又は遅延、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、新規コロナウイルス・パンデミックのような健康危機が、当社が事業を行う国の政府を含む当社とその顧客及び供給業者又は当社事業の他の側面に及ぼす影響、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非中核事業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。

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を勧誘、宣伝又は広告するものではありません。

アジェンダ

プレゼンター

1. 消化器系疾患領域における当社の取り組み

鹿村 光宏
領域戦略ユニット (GI)
シニア クリニカル サイエンス ディレクター

2. 短腸症候群

宮本 昌和
領域戦略ユニット
課長代理 (Marketed Products Group担当)

3. クロウン病に伴う複雑痔瘻

田中 智子
領域戦略ユニット (GI)、アソシエイト メディカル ディレクター
山口 貴義
領域戦略ユニット (GI)、課長代理

4. 質疑応答

Q&Aパネリスト

消化器系疾患（GI）のリーディングカンパニーを目指して



我々のビジョン

消化器系疾患・肝疾患の患者さんの
活気ある日常生活を取り戻す



我々のミッション

消化器系疾患・肝疾患の患者さんに
革新的で人生を変え得る治療法をお届けする

当社の消化器系疾患（GI）の戦略は、GIおよび肝疾患の重要なアンメットニーズに注力し
リーダーシップを維持し、進化してきた

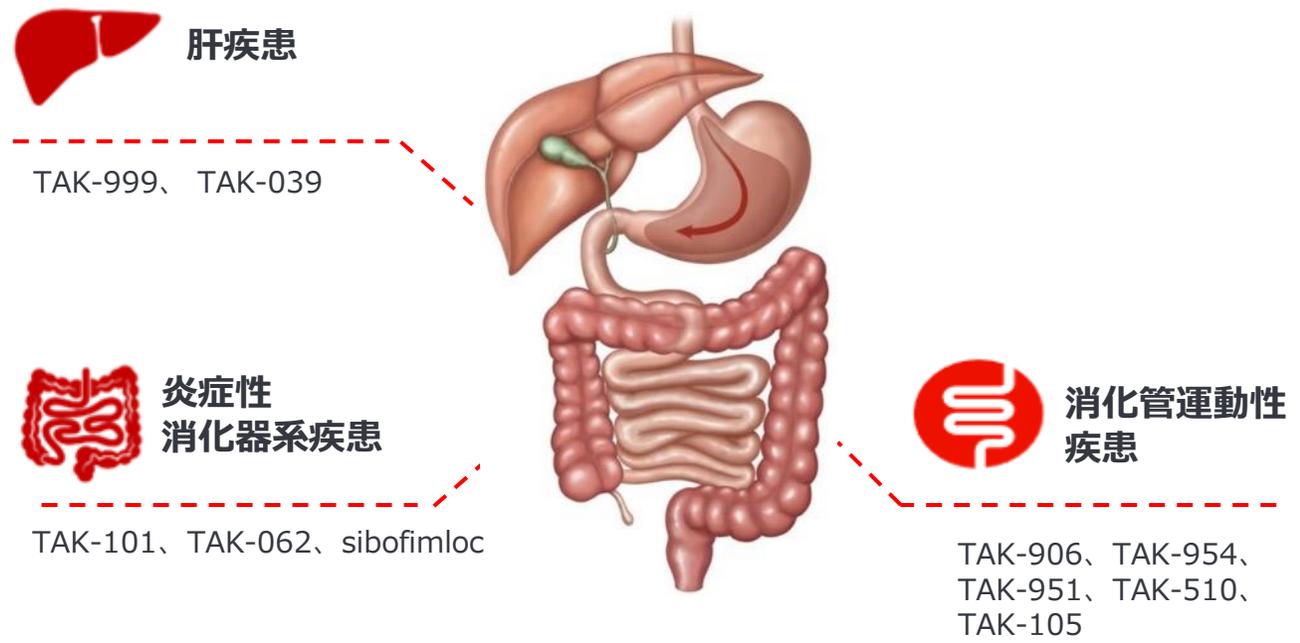


GIにおけるリーダーシップの維持

GI領域における戦略を推進

上市済み製品:
患者さんにとっての価値の創出と最大化

現在のポートフォリオ:
GI領域における戦略の進展



アジェンダ

プレゼンター

1. 消化器系疾患領域における当社の取り組み

鹿村 光宏
領域戦略ユニット (GI)
シニア クリニカル サイエンス ディレクター

2. 短腸症候群

宮本 昌和
領域戦略ユニット
課長代理 (Marketed Products Group担当)

3. クロウン病に伴う複雑痔瘻

田中 智子
領域戦略ユニット (GI) 、アソシエイト メディカル ディレクター
山口 貴義
領域戦略ユニット (GI) 、課長代理

4. 質疑応答

Q&Aパネリスト

2. 短腸症候群

□ 短腸症候群（SBS : Short Bowel Syndrome）とは？

- － 定義
- － 疫学
- － 症状と日常生活における負担
- － 推奨される治療戦略および治療法

□ Gattex/レベスティブ¹（テデュグルチド）

- － SBS治療用として承認された初めて且つ唯一のGLP-2受容体アナログ
- － 臨床試験

定義：短腸症候群（SBS : Short Bowel Syndrome）とは？



短腸症候群（SBS : Short Bowel Syndrome）は、小腸の大部分を外科的に切除することにより起こり、腸管不全（IF : Intestinal Failure）を伴うことが多く、生存に必要な栄養素の吸収能を低下させる

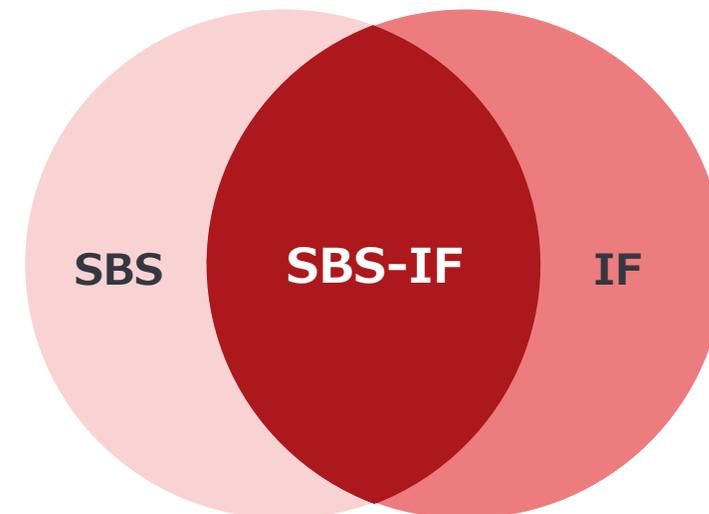
● 短腸症候群の定義



「広範な腸管切除の結果、栄養素の吸収に必要な小腸長が不足して吸収能が低下する*ために、標準的な経口あるいは経腸栄養では水分、電解質、主要栄養素、微量元素、およびビタミンなどの必要量が満たされない状態を指す。」¹



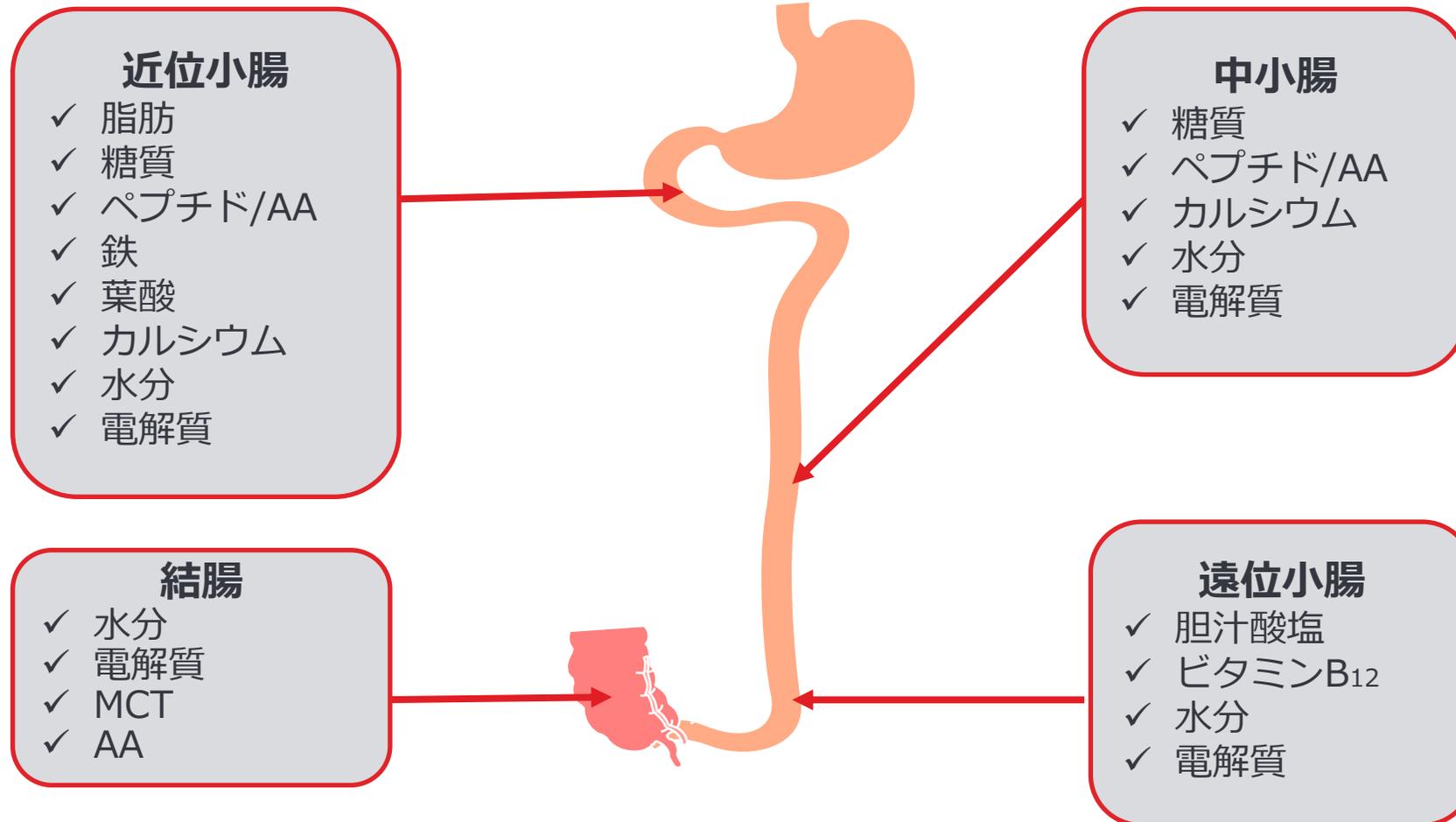
成人のSBSとは、「残存している小腸が（術後の小腸の全長が正常であっても）200cm未満であることに関連する病態を短腸症候群と定義する。」²



*医学的にこの状態は腸管不全と呼ばれる。

定義：消化管の部位別吸収機能

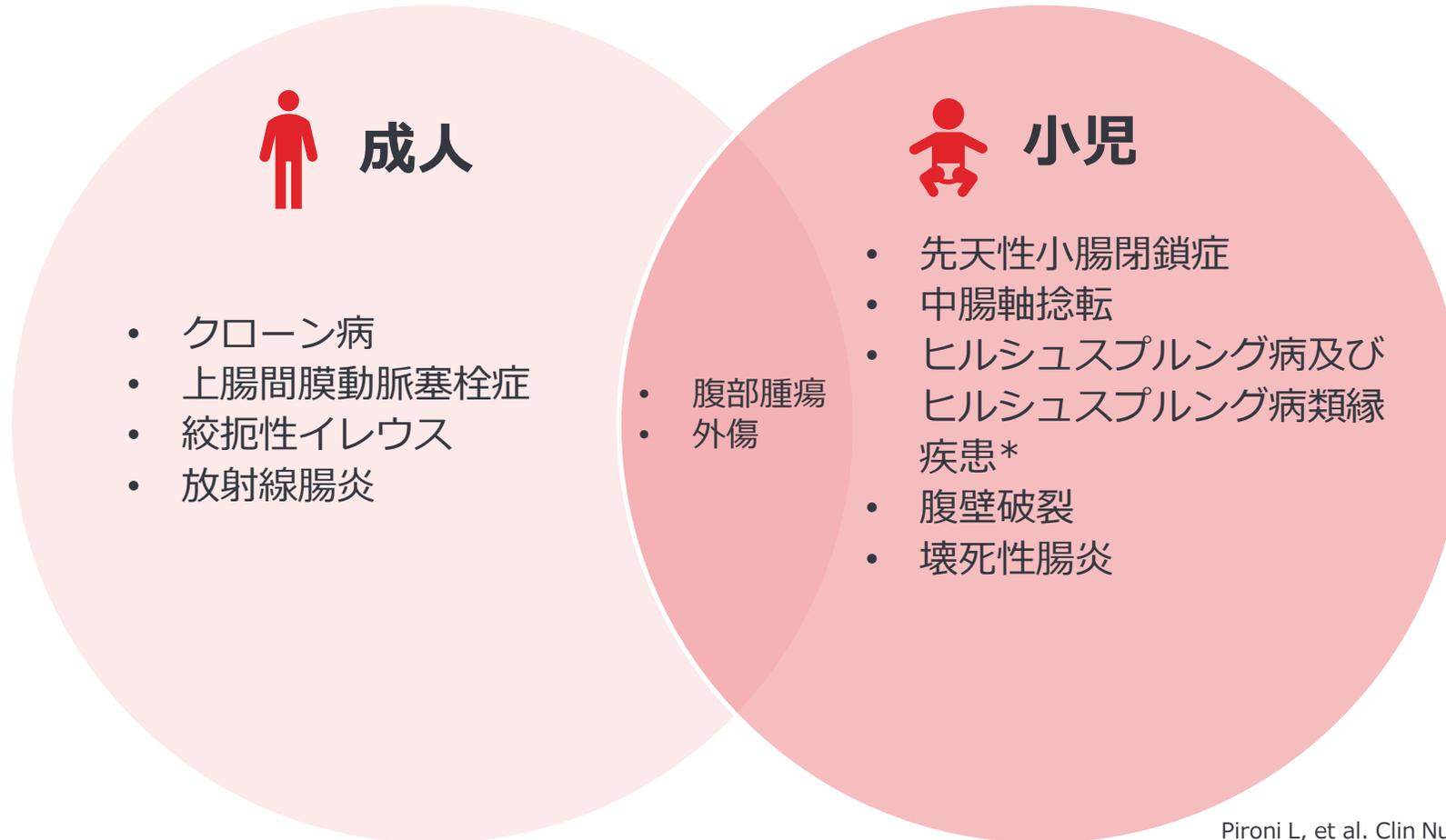
腸の部位によって吸収される栄養素の種類が異なり、小腸では必須栄養素が吸収される



定義：短腸症候群（SBS：Short Bowel Syndrome）の主な原因



SBSを引き起こす疾患は成人と小児で異なる。
SBSに至る先天性疾患もあり、出生後すぐに生じる可能性がある^{1, 2}



Pironi L, et al. Clin Nutr. 2015; 34: 171-180.より改変

* ヒルシュスプルング病の関連疾患は、腸閉塞、腸管拡張および慢性便秘のような、直腸に神経節細胞が存在するにもかかわらずヒルシュスプルング病と同様の症状及び徴候を特徴とする疾患群³

疫学：短腸症候群（SBS：Short Bowel Syndrome）の有病率の推定



SBSの正確な有病率は不明であり、地域によって異なる可能性がある¹
SBSは希少疾患で有病率は上昇傾向にある

調査地域および年		症例数	HPN*依存患者の割合 推定値（人口100万人当たり）	
欧州	1998年調査 ²	494	デンマーク UK オランダ フランス ベルギー ポーランド スペイン	12.7 3.7 3.7 3.6 3.0 1.1 0.65
スペイン	2008年調査 ³	201	スペイン	5.1
ドイツ	2011年/2012年調査 ⁴	2,808	ドイツ	34
デンマーク	1970–2010年のコホート研究 ⁵	450	デンマーク	80
英国	2015年調査 ⁶	420	UK	17.7
イタリア	2012年調査 ⁷	13,046	イタリア	46.1
米国	2013年メディケア受給者データ ⁸	20,883	US	79

*Parenteral Support (PS) を必要としないSBS患者は含まない；引用した試験の一部でPSをHome Parenteral Nutrition (HPN) と呼称しているものも含まれる
BANS：英国静脈経腸栄養学会；HPN:在宅静脈栄養；PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

1. Kelly DG, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2014;38(4):427-437. ; 2. Van Gossum A et al. Clin Nutr.1999;18:135-140 ; 3. Juana-Roa J et al. Nutr Hosp. 2011;26:364-368 ;
4. von Websky MW et al. Chirurg. 2014;85:433-439 ; 5. Brandt CF et al. JPEN J Parent Enteral Nutr. 2017;41:1178-1187 ; 6. British Association of Parenteral and Enteral Nutrition (BANS) Report 2016, Artificial Nutrition Support in the UK 2005-2015. Adult Home Parenteral Nutrition & Home Intravenous Fluids. <http://www.bapen.org.uk/>. ;
7. Pironi L & Regional Coordinators of SINPE. BMC Nutr. 2017;3:6 ; 8. Mundi MS et al. Nutr Clin Pract. 2017;32:799-805

短腸症候群（SBS：Short Bowel Syndrome）は、小腸からの吸収低下により主に下痢、脱水、栄養失調などの症状を引き起こす

SBSの臨床症状^{1, 2}

下痢

脱水

脂肪便

電解質異常

栄養障害

SBSに至るメカニズム³

吸収粘膜の表面積の減少

腸管からの水分および電解質の喪失増加

経口/経腸栄養の制限

疾患に関連する食欲不振

代償性食欲亢進の欠如

消化管通過時間の短縮

小腸における細菌の過増殖

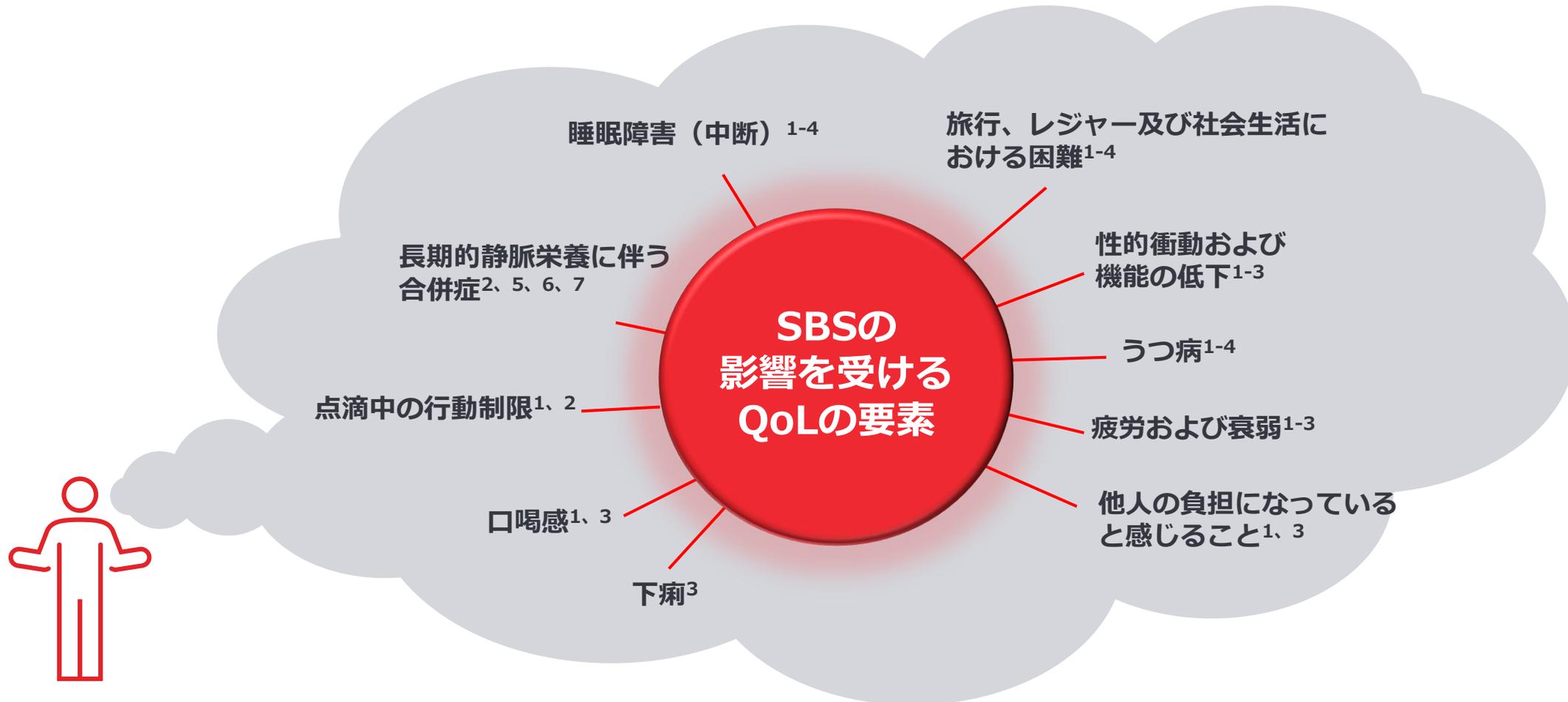
キーポイント:

- SBSは、主に腸管の吸収能力の喪失に起因¹⁻³
- 通常の食事から摂取するタンパク質由来のエネルギー、水分、電解質、微量栄養素のバランスなどを維持できないという特徴⁴
- 臨床症状の重症度は患者さんによって異なる^{1, 2}



1. Pironi L. Best Pract Res Clin Gastroenterol. 2016;30:173-185;
2. Hofstetter S et al. Curr Med Res Opin. 2013;29:495-504;
3. Pironi L et al. Clin Nutr. 2015;34:171-180; 4. O'Keefe SJ et al. Clin Gastroenterol Hepatol. 2006;4:6-10

短腸症候群（SBS : Short Bowel Syndrome）患者さんは
症状と治療に応じて日常生活において様々な困難に遭遇



QoL : 生活の質

1. Kelly DG, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2014; 38 (4) : 427-437.
2. Hofstetter S, et al. Curr Med Res Opin. 2013; 29 (5) : 495-504.
3. Huisman-de Waal G, et al. Clin Nutr. 2007; 26 (3) : 275-288.
4. Winkler MF, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2014; 38 (1 Suppl) : 32S-37S.

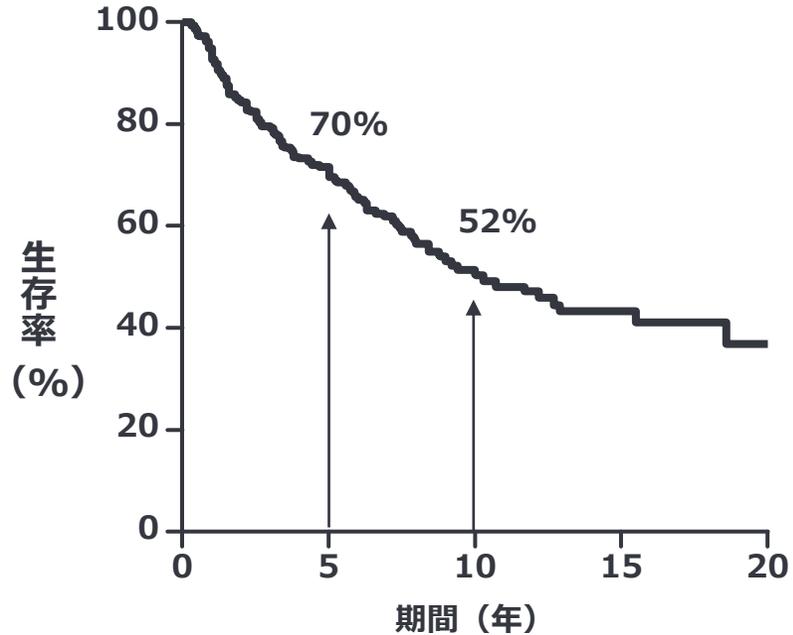
5. Jeppesen PB. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2014; 38 (1 Suppl) : 8S-13S.
6. Misiakos EP, et al. J Clin Gastroenterol. 2007; 41 (1) : 5-18.
7. Mullady DK, et al. Nat Clin Pract Gastroenterol Hepatol. 2006; 3 (9) : 492-504

VIDEO

症状と日常生活における負担：成人のSBS患者さんの予後

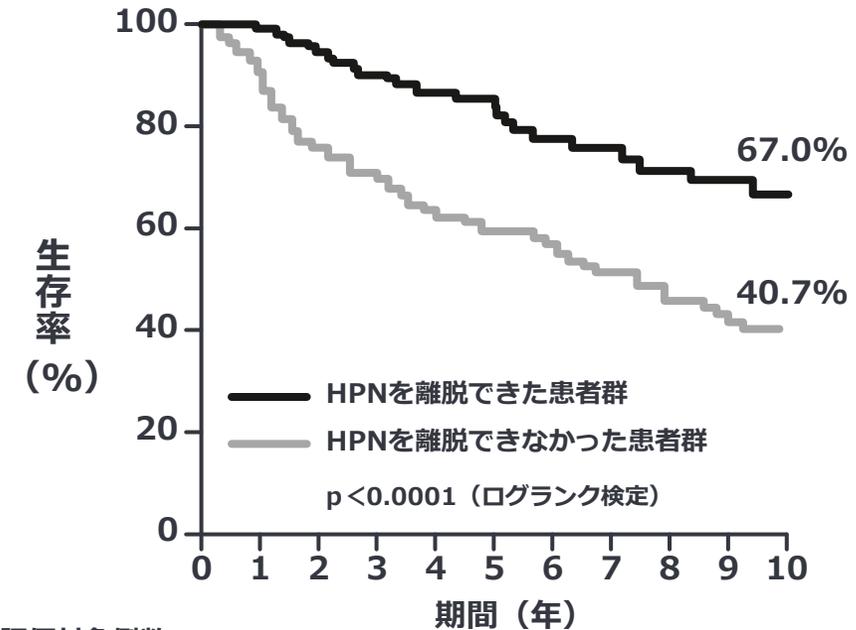


SBSは日常生活における負担に加え、生命予後に影響を及ぼす疾患としても知られている



評価対象例数	268	118	52	22	6
標準誤差		0.03	0.04	0.04	0.05

図1 Home Parenteral Nutrition (HPN) を受けている成人SBS患者の推定生存率 (n=268)



評価対象例数											
一時的	144	122	96	85	72	63	55	47	41	32	30
永続的	124	115	92	83	68	55	44	39	34	27	22

図2 Home Parenteral Nutrition (HPN) 離脱の有無に基づく成人SBS患者 (n=268) の推定生存率

対象患者：1980年1月～2006年4月に登録された、継続してHPNを施行中の全ての成人SBS患者（残存小腸の長さが150 cm以下）。
ただし、追跡調査の1年以内に原発性悪性腫瘍を発症した患者、遺伝子組換えヒト成長ホルモンまたはテデュグルチドの治療失敗など腸管不全に対するHPN以外の治療を受けた患者および3カ月以内にHPNを中止した患者を除く

方法：中央値4.4年間（範囲：0.3～24年間）にわたって生存の有無をレトロスペクティブに検討
リミテーション：フォローアップ期間が長期間（25年以上）、特定されたSBS患者（対象患者の項目を参照）

HPN:在宅中心静脈栄養
SBS:短腸症候群

Amiot A, et al. Clin Nutr. 2013; 32 (3) : 368-374.

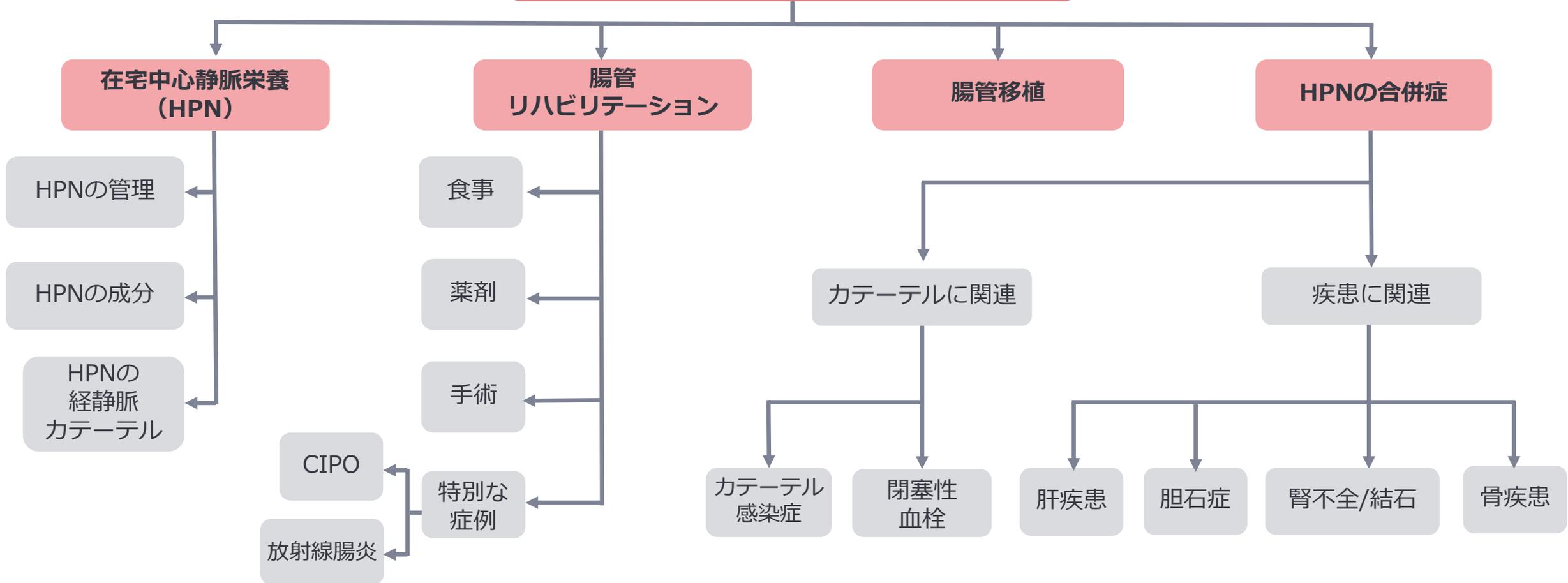
推奨される治療戦略および治療法： ESPENによるSBSの管理および治療戦略のフローチャート



ESPENの管理および治療戦略は、4つの主なチャプターと多様なサブチャプターで構成されている



良性的慢性腸管不全（CIF） の管理および治療



推奨される治療戦略および治療法： SBS患者さんにおける治療アプローチと目標



主な治療目標は腸管の順応性を高めることであり、
且つ小児患者さんの適切な成長と発達を考慮する必要がある

栄養および水分補給 のサポート¹

- 水分および電解質の管理
- 主要栄養素の補給および食事療法
- 微量栄養素および微量元素の補給

治療： 消化管症状の管理^{2, 3} および成長因子を活用 した治療法^{2*}

- 分泌抑制薬
- 腸管運動抑制薬・止瀉薬
- 抗生物質
- GLP-2アナログ（テデュグルチド）
- 成長ホルモン⁶（ソマトロピン）

手術の選択肢³

- 非移植手術
- 腸管移植

治療目標：成人



腸管の順応性を高めること
による静脈栄養からの離脱⁴

治療目標：小児



適切な成長と発達を維持
しながら、腸管順応を達成⁵

*成長因子を活用した治療法が利用できない国や地域もある

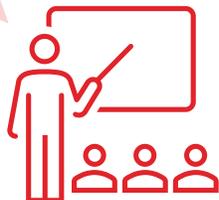
GLP-2：グルカゴン様ペプチド2；SBS：短腸症候群

推奨される治療戦略および治療法： 成長因子により、腸管順応をどのように高めるか



残存小腸における栄養素および水分の吸収は、栄養素因子と非栄養素因子により増強が可能
GLP-2は非栄養因子の1つである

- 腸管順応は小腸切除後に起こる自然な代償プロセスである。これにより、残存小腸における栄養素および水分の吸収が改善される¹
- 腸管順応を最大化するには経腸栄養が必要²



非栄養素因子 ^{3, 4}	効果
成長ホルモン	腸管の長さおよび機能を中等度に増大
インスリン様成長因子 (IGF-1)	陰窩細胞と平滑筋の増殖
上皮細胞増殖因子 (EGF、TGFα)	腸管上皮細胞の増殖を促進とアポトーシスの減少
グルカゴン様ペプチド (GLP-2)	陰窩細胞の増殖、絨毛の高さおよび陰窩の深さの増大、胃の運動性および胃酸分泌の減少、腸管バリア機能の改善、血流量の増加
その他 (KGF、ニューロテンシン)	KGF ：腸管上皮細胞の増殖を促進、アポトーシスの減少 ニューロテンシン ：絨毛の高さを増大

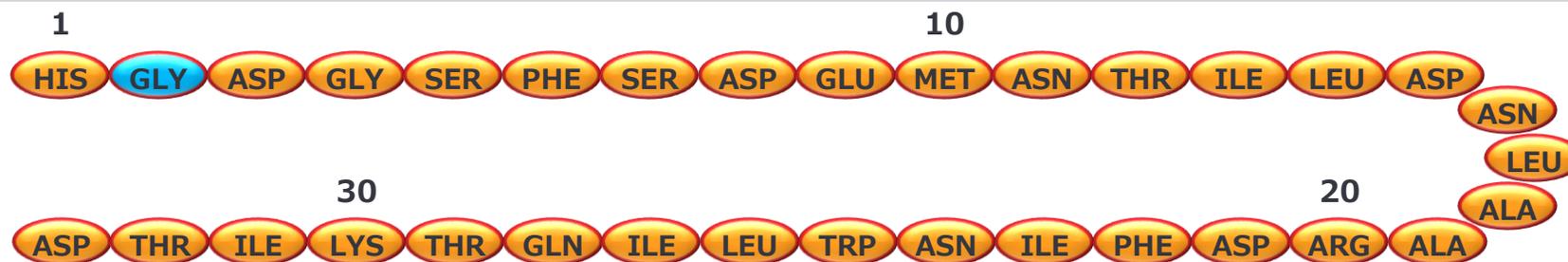
EGF：上皮成長因子；GLP-2：グルカゴン様ペプチド2；IGF：インスリン様成長因子；
KGF：ケラチノサイト増殖因子；TGFα：トランスフォーミング増殖因子α

1. Neelis EG, et al. Best Pract Res Clin Gastroenterol. 2016; 30 (2) : 249-261 ;
2. Pironi L et al. Clin Nutr. 2016;35:247-307;
3. Weale AR et al. Postgrad Med J. 2005;81:178-184;
4. Rubin DC and Levin MS. Best Pract Res Clin Gastroenterol. 2016;30:237-248

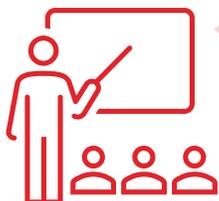
Gattex/レベスティブは、SBSの治療薬として承認された初めてかつ唯一のGLP-2アナログ



- Gattex/レベスティブは、天然型GLP-2よりも長い半減期を有するようデザインされた遺伝子組換えヒトGLP-2アナログ
- 47カ国で承認され、9年以上の臨床エビデンスを通じて確立された有効性および安全性プロファイル



- Gattex/レベスティブは、2番目のアラニンがグリシン（[Gly 2] GLP-2）に置換されていることを除き、内因性GLP-2と同一のアミノ酸配列を有するGLP-2アゴニスト^{1, 2}
- この単一アミノ酸置換は、DPP-IV²⁻⁴による分解に耐性を示し、活性を増加させ、内因性GLP-2の平均半減期を健康被験者では7分から約2時間に、SBS患者さんでは1.3時間に延長^{1, 2, 4, 5}



DPP-IV : ジペプチジルペプチダーゼ4 ; GLP-2 : グルカゴン様ペプチド2 ; [Gly 2] GLP-2 : GLP-2の分解抵抗性アナログ (テデュグルチド) ;
SBS : 短腸症候群 (Short Bowel Syndrome)

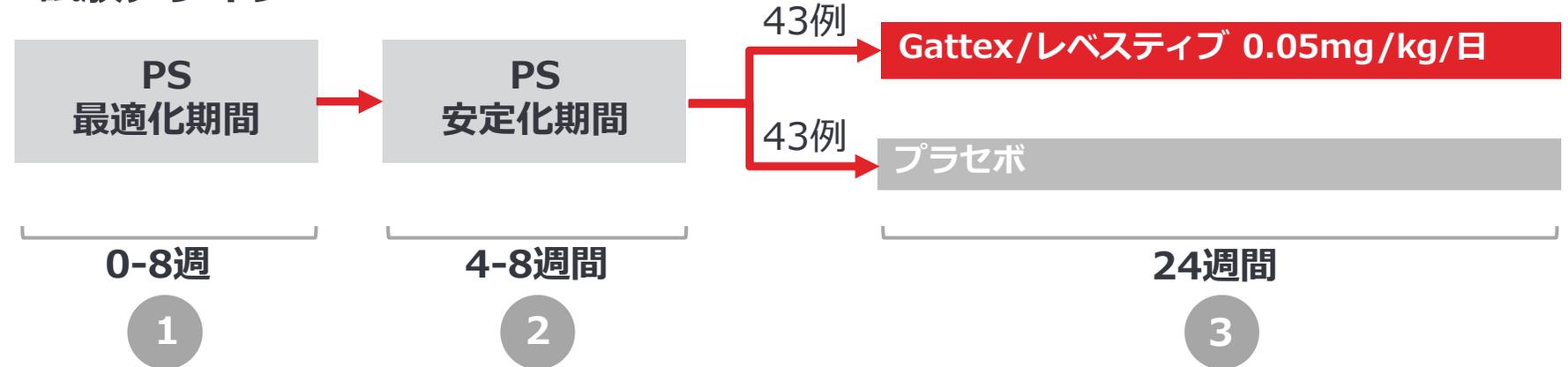
1. Gattex 添付文書 マサチューセッツ州レキシントン : Shire-NPS Pharmaceuticals, Inc., 7/16 ; 2.レベスティブ 製品概要 アイルランド ダブリン : Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd, 7/17

3. Drucker DJ, et al. Nat Biotechnol. 1997;15:673-677 ; 4. Tavares W, et al. Am J Physiol Endocrinol Metab 2000;278:E 134-E 139 ; 5. Hartmann B, et al. J Clin Endocrinol Metab. 2000;85:2884-2888

臨床試験：成人SBS患者さんを対象とした Gattex/レベスティブ臨床第3相試験（STEPS試験）

↑ 成人データ

試験デザイン



対象:

12カ月以上にわたりPSに依存するSBSの既往歴がある男女の患者（18歳以上）



有効性の主要評価項目:

レスポnder（20週および24週時点のPS量がベースラインから20%以上減少した患者）の割合

- 1 PS最適化期間において、目標尿量を1～2L/日に安定させる
- 2 PSの安定化期間において、処方されたPSの使用量と実際のPSの使用量を一致させ、経口水分摂取量および尿量を最適値の25%以内とする
- 3 治療期間において、ランダム化し、24週間投与。経静脈サポートおよび量を調整するためのアルゴリズムを規定

SBS：短腸症候群；PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

Jeppesen PB, et al. Gastroenterology. 2012; 143 (6) : 1473-1481.

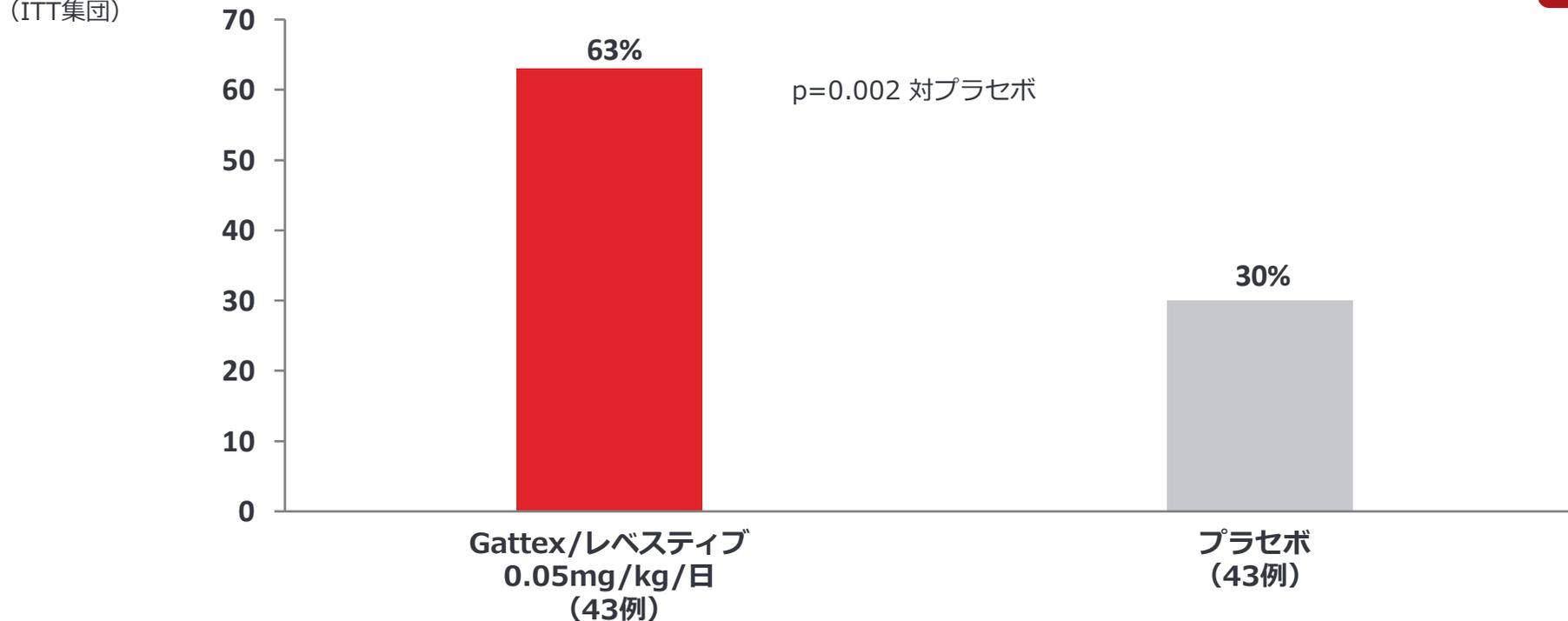
臨床試験：STEPS試験の結果 – 主要評価項目であるレスポンドアの割合



Gattex/レベスティブ群（27/43 [63%]）は、プラセボ群（13/43 [30%]）と比較し有意にレスポンドアが多かった（ $P=0.002$ ）

レスポンドアの割合（%）
（ITT集団）

 成人データ



- 週間PS量がベースラインから20%以上減少することを奏効と定義し、20週及び24週の両時点で奏効を示した患者をレスポンドアとした
- Gattex/レベスティブ群とプラセボ群の間でレスポンドアの割合に有意差が認められ、主要評価項目を達成した

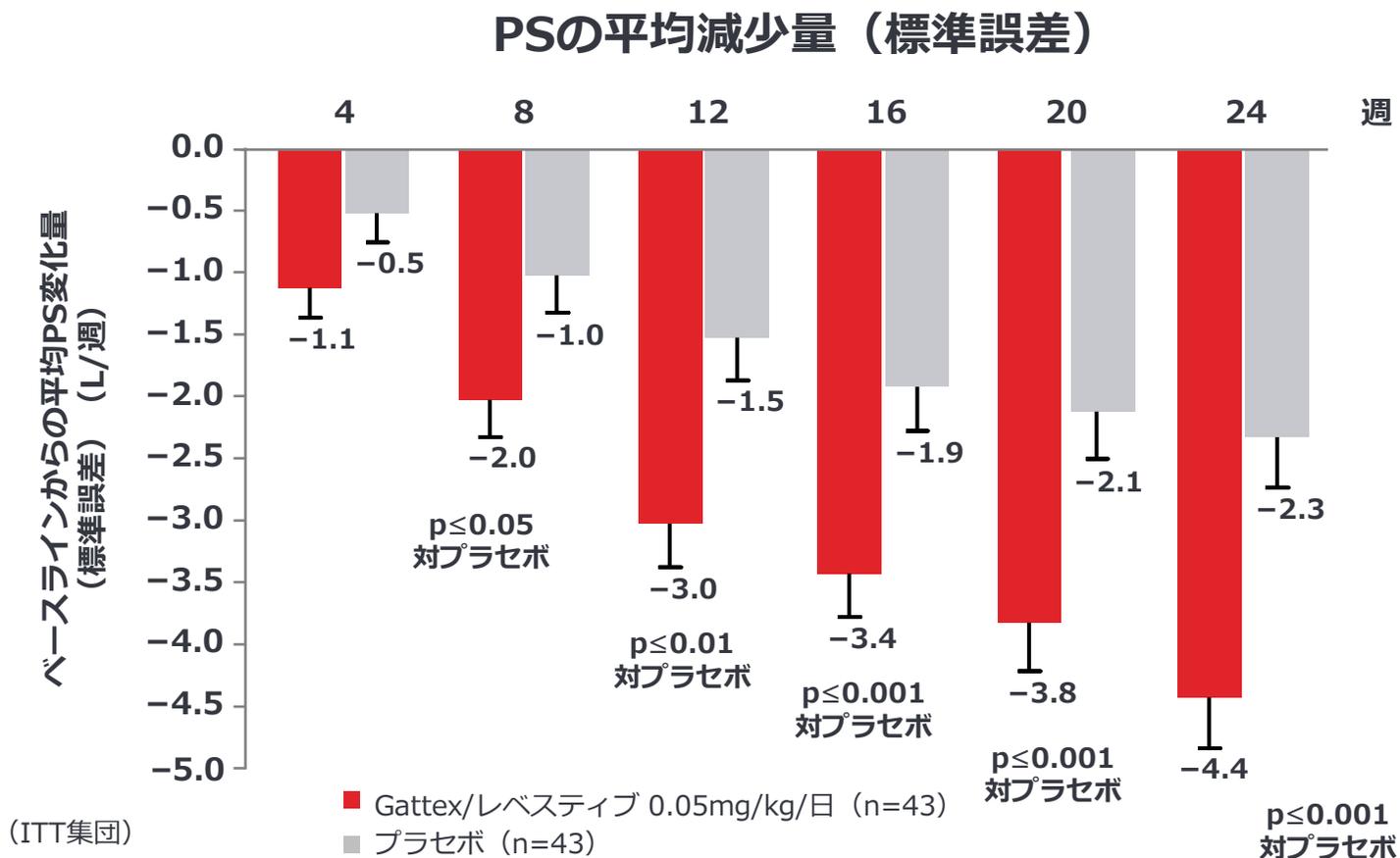
PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

臨床試験： STEPS試験の結果 – 副次評価項目であるPSの減少量



Gattex/レベスティブ群では、すべての来院時にベースラインと比較した平均PS量の減少が認められ、8週目から24週目までの期間で、プラセボ群と比較して統計学的に有意な減少であった

成人データ



PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

Jeppesen PB, et al. Gastroenterology. 2012; 143 (6) : 1473-1481.

臨床試験：STEPS試験の結果 – 有害事象



有害事象、重篤な有害事象、または投与中止に至った有害事象の発現率は両群間で同程度であった

 成人データ

	Gattex/レベスティブ 42例	プラセボ 43例	合計 85例
	例数 (%)	例数 (%)	例数
有害事象	35 (83%)	34 (79%)	69
投与中止に至った有害事象*	2 (5%) **	3 (7%)	5
重篤な有害事象	15 (36%) **	12 (28%)	27
死亡	0	0	0

*重篤と判断されたものはなかった

**治験薬と関連があると判定されたがいずれも回復（急性胆嚢炎および小腸狭窄）

(安全性解析対象集団)

臨床試験：STEPS試験の結果－有害事象



Gattex/レベスティブ群で最も高頻度に報告された有害事象は、消化器症状であった

安全性解析対象集団の5%を超える被験者に発現した有害事象、例数 (%)	Gattex/レベスティブ 42例	プラセボ 43例
すべての有害事象	35 (83%)	34 (79%)
腹痛	13 (31%)	10 (23%)
悪心	12 (29%)	8 (19%)
消化管ストーマ合併症*	10 (24%)	3 (7%)
腹部膨満	9 (21%)	1 (2%)
中心静脈カテーテル全身感染**	7 (17%)	7 (16%)
末梢性浮腫	7 (17%)	2 (5%)
尿路感染	6 (14%)	4 (9%)
鼓腸	5 (12%)	3 (7%)
嘔吐	5 (12%)	4 (9%)
疲労	4 (10%)	3 (7%)
発熱	4 (10%)	4 (9%)
下痢	3 (7%)	5 (12%)
体重増加	3 (7%)	3 (7%)
呼吸困難	3 (7%)	0
鼻咽頭炎	3 (7%)	0

成人データ

* 合併症とは、ストーマまたはストーマ乳頭の腫脹、成長、肥大、拡大または大きさの増大が報告された場合と定義

** カテーテル関連感染、中心静脈カテーテル感染、カテーテル敗血症、感染性血栓症、菌血症を含む

(安全性解析対象集団)

臨床試験：小児SBS患者さんを対象とした Gattex/レベスティブ臨床第3相試験（TED-C14-006試験）



小児データ



対象:

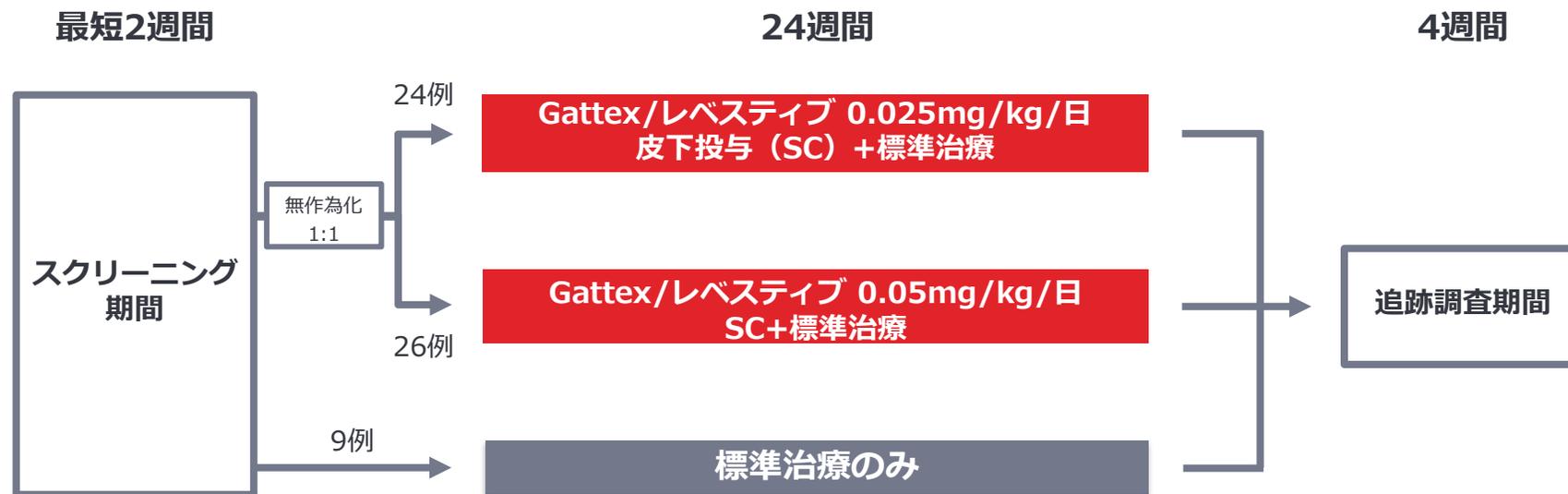
経静脈サポートに依存している男児/女児および青少年（18歳未満）の SBS患者



有効性の主要評価項目:

24週時点（投与終了時）に体重によって標準化したPSが20%以上減少した被験者の数および割合

試験デザイン



第1、2、4、6、8、10、12、15、18、21、24、28週時の治験実施医療機関の来院。それ以外の週は電話連絡。

SBS：短腸症候群；SC：皮下；PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

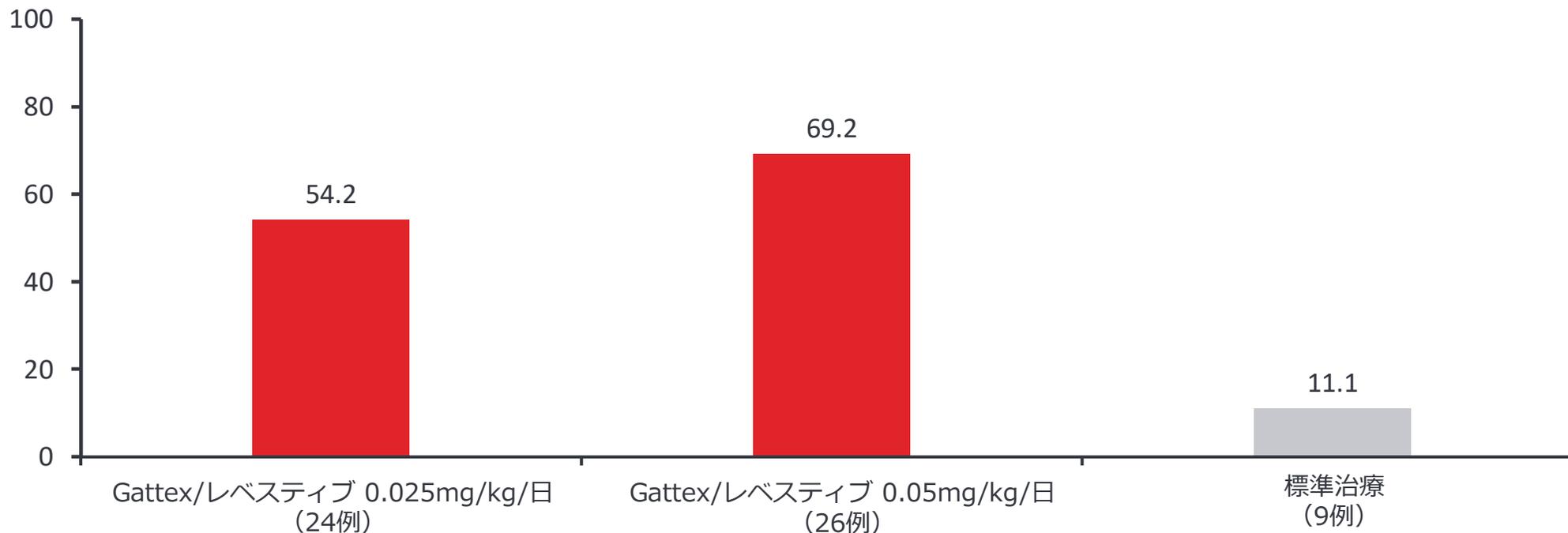
臨床試験：TED-C14-006試験の結果 – 主要評価項目



最長24週間のGattex/レベスティブ0.025および0.05mg/kg/日での投与により
SBSの小児患者さんにおけるPSが減少

 小児データ

患者割合 (%) 主要評価項目：24週時点（投与終了時）に体重によって標準化したPSが20%以上減少（ITT集団）



患者日誌データに基づく

SBS：短腸症候群；ITT：Intent-to-Treat；PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

Kocoshis SA, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2020; 44 (4) : 621-631.

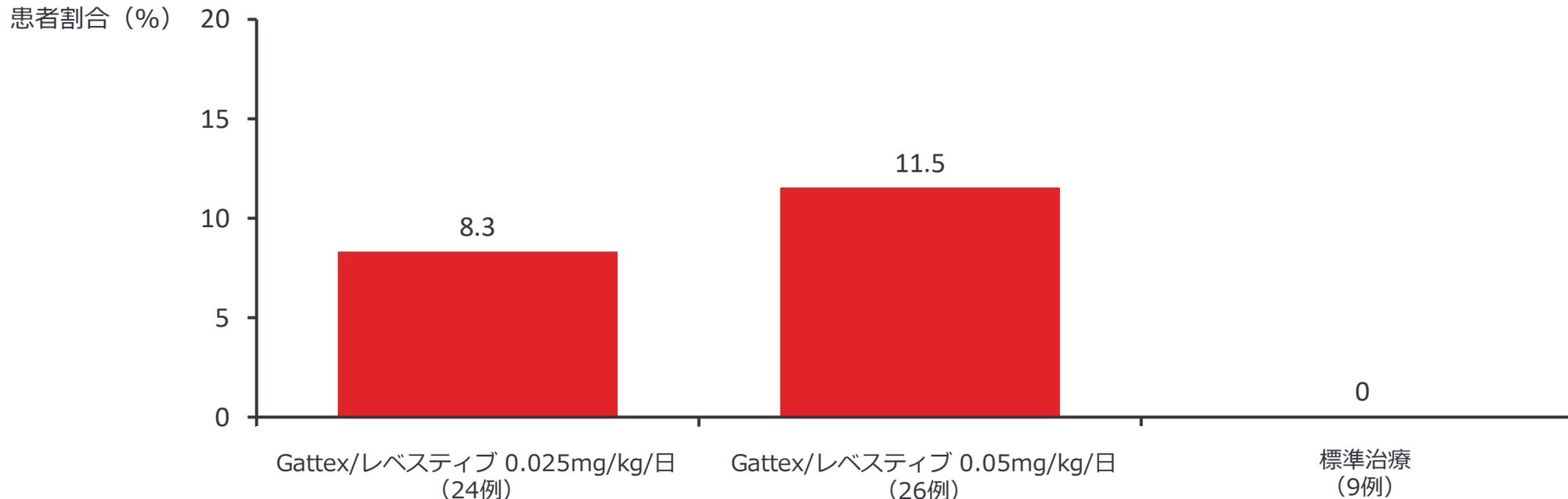
臨床試験：TED-C14-006試験の結果 – その他の有効性評価項目



0.025mg/kg群の2例および0.05mg/kg群の3例において、PSからの完全離脱を達成
標準治療群では、試験期間中に経静脈サポートからの離脱を達成した小児はいなかった

 小児データ

その他の有効性評価項目：24週時点でPSからの完全離脱（ITT集団）



ITT：Intent-to-Treat；PS：経静脈サポート（静脈栄養および/または静脈内輸液）

臨床試験：TED-C14-006試験の結果

– Gattex/レベスティブ群で発現した主な有害事象



2つのGattex/レベスティブ用量群間において、有害事象の発現頻度に明らかな差は認められなかった

有害事象、例数 (%)	Gattex/レベスティブ 0.025 mg/kg/日 (24例)	Gattex/レベスティブ 0.05 mg/kg/日 (26例)	Gattex/レベスティブ合計 (50例)	SOC (9例)
発熱	8 (33.3)	11 (42.3)	19 (38.0)	4 (44.4)
嘔吐	10 (41.7)	8 (30.8)	18 (36.0)	5 (55.6)
上部RTI	7 (29.2)	8 (30.8)	15 (30.0)	4 (44.4)
咳嗽	2 (8.3)	10 (38.5)	12 (24.0)	3 (33.3)
下痢	8 (33.3)	3 (11.5)	11 (22.0)	1 (11.1)
鼻咽頭炎	4 (16.7)	6 (23.1)	10 (20.0)	2 (22.2)
腹痛	4 (16.7)	6 (23.1)	10 (20.0)	0 (0.0)
脱水	8 (33.3)	1 (3.8)	9 (18.0)	0 (0.0)
ALT増加	7 (29.2)	2 (7.7)	9 (18.0)	0 (0.0)
頭痛	3 (12.5)	5 (19.2)	8 (16.0)	1 (11.1)
医療機器関連の感染症	1 (4.2)	5 (19.2)	6 (12.0)	0 (0.0)
鼻炎	1 (4.2)	5 (19.2)	6 (12.0)	0 (0.0)
ウイルス感染	3 (12.5)	3 (11.5)	6 (12.0)	1 (11.1)
医療機器の破損	3 (12.5)	3 (11.5)	6 (12.0)	0 (0.0)
インフルエンザ様症状	2 (8.3)	3 (11.5)	5 (10.0)	0 (0.0)
AST増加	5 (20.8)	0	5 (10.0)	0 (0.0)

小児データ



短腸症候群（SBS : Short Bowel Syndrome）は、小腸の大部分を外科的に切除することにより起こり、腸管不全を伴うことが多く、生存に必要な栄養素の吸収能を低下させる



SBS患者さんは日常生活において様々な困難を経験することでQoLが低下し、生命予後が短いといわれている



治療目標は、腸管吸収能を回復させ、腸管順応を高め、小児患者さんにおいて適切な成長や発達を促進すること



Gattex/レベスティブは腸管吸収能を高める遺伝子組換えヒトGLP-2アナログ
成人および小児（乳児を含む）対象の臨床試験で有効性と安全性が確認されている

アジェンダ

プレゼンター

1. 消化器系疾患領域における当社の取り組み

鹿村 光宏
領域戦略ユニット (GI)
シニア クリニカル サイエンス ディレクター

2. 短腸症候群

宮本 昌和
領域戦略ユニット
課長代理 (Marketed Products Group担当)

3. クロウン病に伴う複雑痔瘻

田中 智子
領域戦略ユニット (GI)、アソシエイト メディカル ディレクター
山口 貴義
領域戦略ユニット (GI)、課長代理

4. 質疑応答

Q&Aパネリスト

3. クローン病に伴う複雑痔瘻

□ クローン病に伴う痔瘻とは？

- － 疾患の背景
- － 現在の標準治療
- － 症状と日常生活における負担

□ アロフィセル（一般名 ダルバドストロセル：当社初の細胞治療）

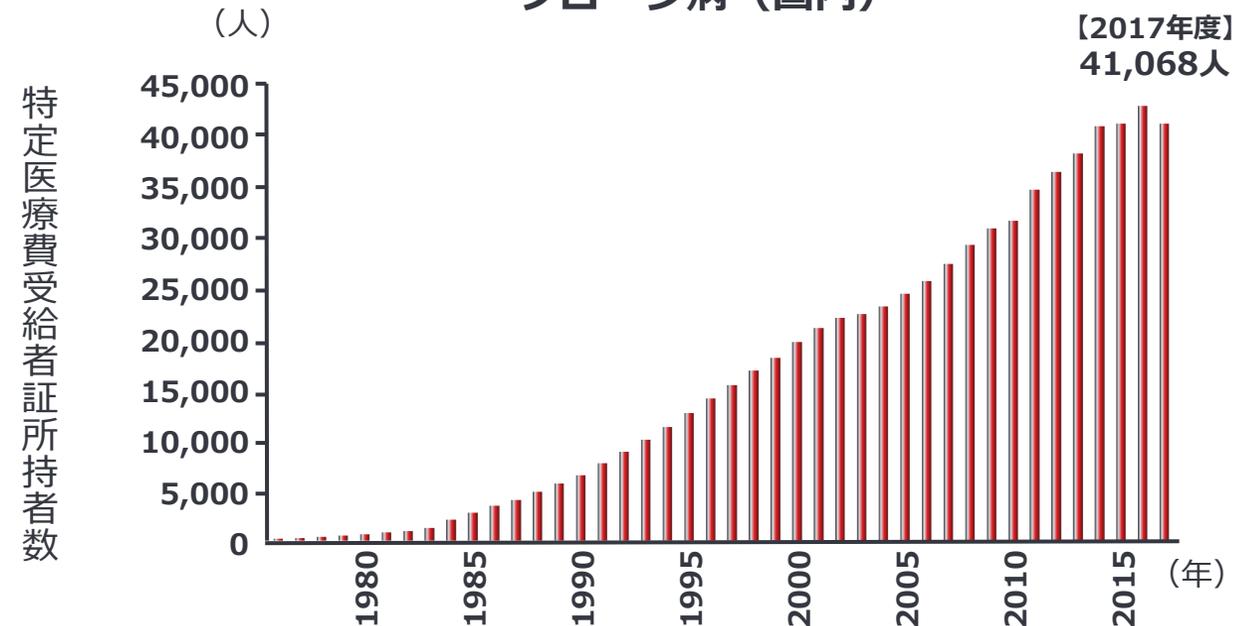
- － 特徴
- － 臨床試験
- － 製造およびロジスティクス

クローン病の罹患数は、国内外を問わず増加している

クローン病

- 慢性炎症性腸疾患¹
 - 消化管壁全層性に及ぶ特発性炎症
 - 消化管のいずれの部位でも起こりうる
- 罹患率の上昇や治療の困難さが、公衆衛生および医学的管理上の大きな課題となっている²
 - 米国：80万例
 - EU：59万例
 - 日本：4万例

クローン病（国内）



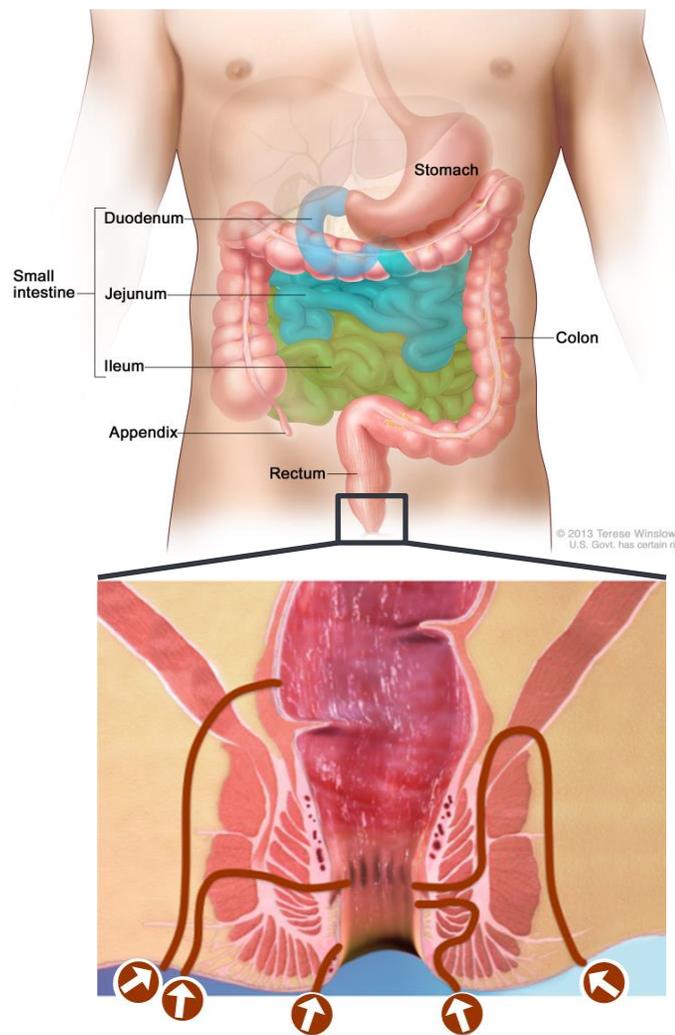
難病情報センター 特定疾患医療受給者証所持者数
(<http://www.nanbyou.or.jp/entry/1356>) .
厚生労働省 衛生行政報告例 (<https://www.mhlw.go.jp/toukei/list/36-19.html>) .
より作図

1. Buscail (2021)
2. Landscape & Forecast, QRG, Feb 2020

疾患の背景：クローン病に伴う痔瘻（Crohn's Perianal Fistula; CPF）とは？



慢性炎症によって消化管と肛門周囲の皮膚が瘻孔でつながっている状態のこと



クローン病患者（650例）*

肛門周囲病変	患者数	頻度 (%)
痔瘻・膿瘍	416	64.0
裂肛・潰瘍	184	28.3
皮垂	180	27.7
肛門狭窄	92	14.2
肥厚性乳頭	77	11.8
痔核	18	2.8
直腸肛門管癌	5	0.8
病変の混在	316	60.3

* 福岡大学筑紫病院

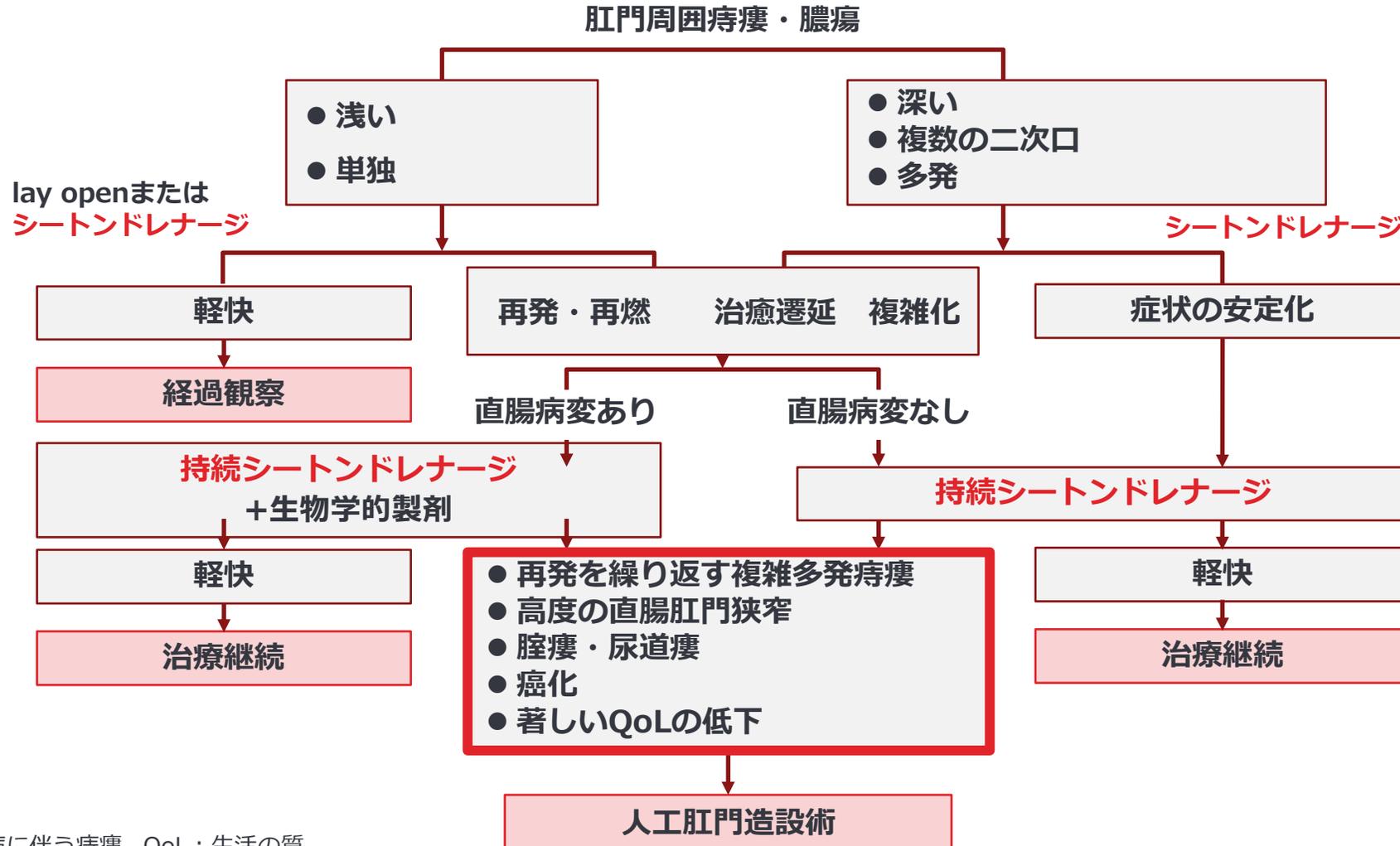
クローン病患者さんの80%で肛門周囲病変を認める
そのうち、痔瘻が最も多い（日本のデータ）

https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK66026/figure/CDR_0000350260__184/
 東大二郎、二見喜太郎: 現場のエキスパートが教える 実践！IBD診療（渡辺守総編集）, 20-29, 医学出版, 2014.
 Parks AG, et al.: Br J Surg 1976; 63 (1) : 1-12.
 Sandborn WJ, et al.: Gastroenterology. 2003; 125 (5) : 1508-1530.

標準治療：内科的・外科的治療の進歩にもかかわらず、CPFの治療は依然として困難



国内外ともに、シートドレナージ（症例により生物学的製剤を併用）が CPFに対する標準治療となっている



CPF：クローン病に伴う痔瘻 QoL：生活の質

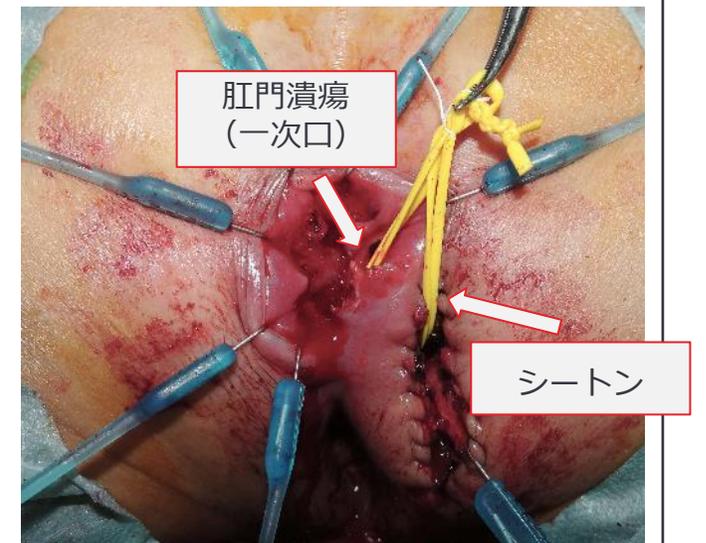
症状と日常生活における負担：CPFとシートンを有する患者さんの実症例



シートンドレナージは患者さんの身体的、精神的な苦痛を引き起こし、QoLを著しく損なう

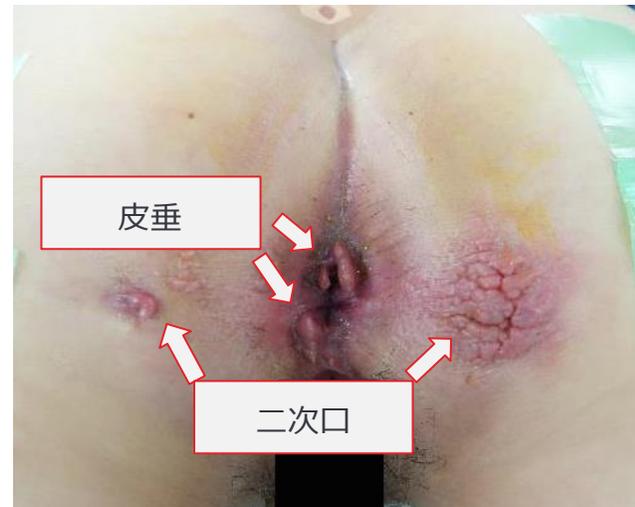
症例1

- 50代 男性
- 小腸大腸型クローン病
- クローン病治療薬：
5-ASA、プレドニゾロン



症例2

- 10代 女性
- 小腸大腸型クローン病
- クローン病治療薬：
5-ASA、アダリムマブ、
メトロニダゾール

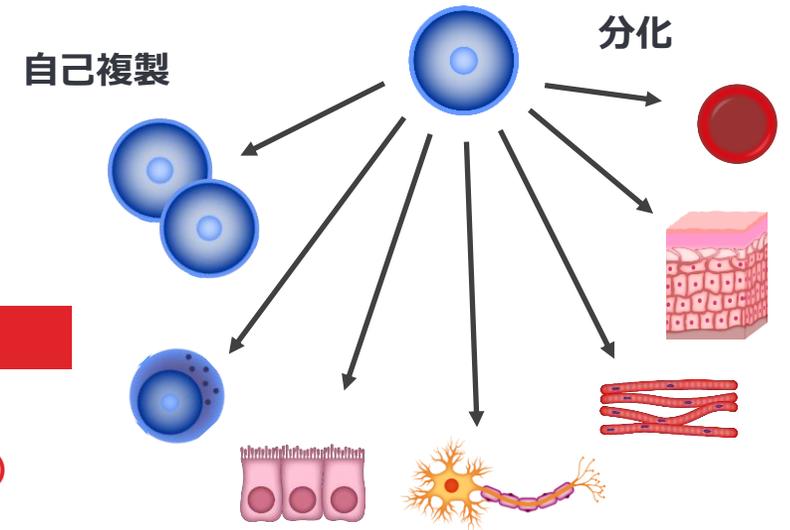


VIDEO

特徴：幹細胞とは？

幹細胞に関する研究はその多様な特性のため注目を集めている

- 未分化の細胞集団
- 自己複製能
(自分と同じ能力を持った細胞を複製する能力)
- 多能性 (異なる系列の細胞に分化する能力)



ESC：胚性幹細胞
 HSC：造血幹細胞
 MSC：間葉系幹細胞
 iPSC：人工多能性幹細胞

US National Academies. Understanding Stem Cells.
 (Available at:
https://www.nap.edu/resource/11278/Understanding_Stem_Cells.pdf) 2021年4月閲覧

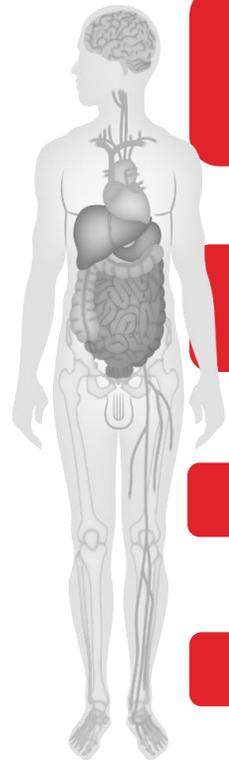
藤田聡.: 技術士. 2010; 11: 16-19. (抜粋、改変)

幹細胞の種類

	胚性幹細胞 (ES細胞、ESC)	体性幹細胞 (Somatic stem細胞)	人工多能性 幹細胞 (iPS細胞、iPSC)
		 HSC MSC	
供給源	胚	種々の組織 (骨髄、臍帯血、脂肪等)	種々の組織 (皮膚等)
分化能	あらゆる細胞へ 分化可能	限られた種類の細胞へ 分化可能	あらゆる細胞へ 分化可能
倫理問題	大きい (受精卵の喪失)	小さい	小さい

特徴：間葉系幹細胞（MSC）とは？

MSCは様々な組織から採取され、広範囲の分化能を有する

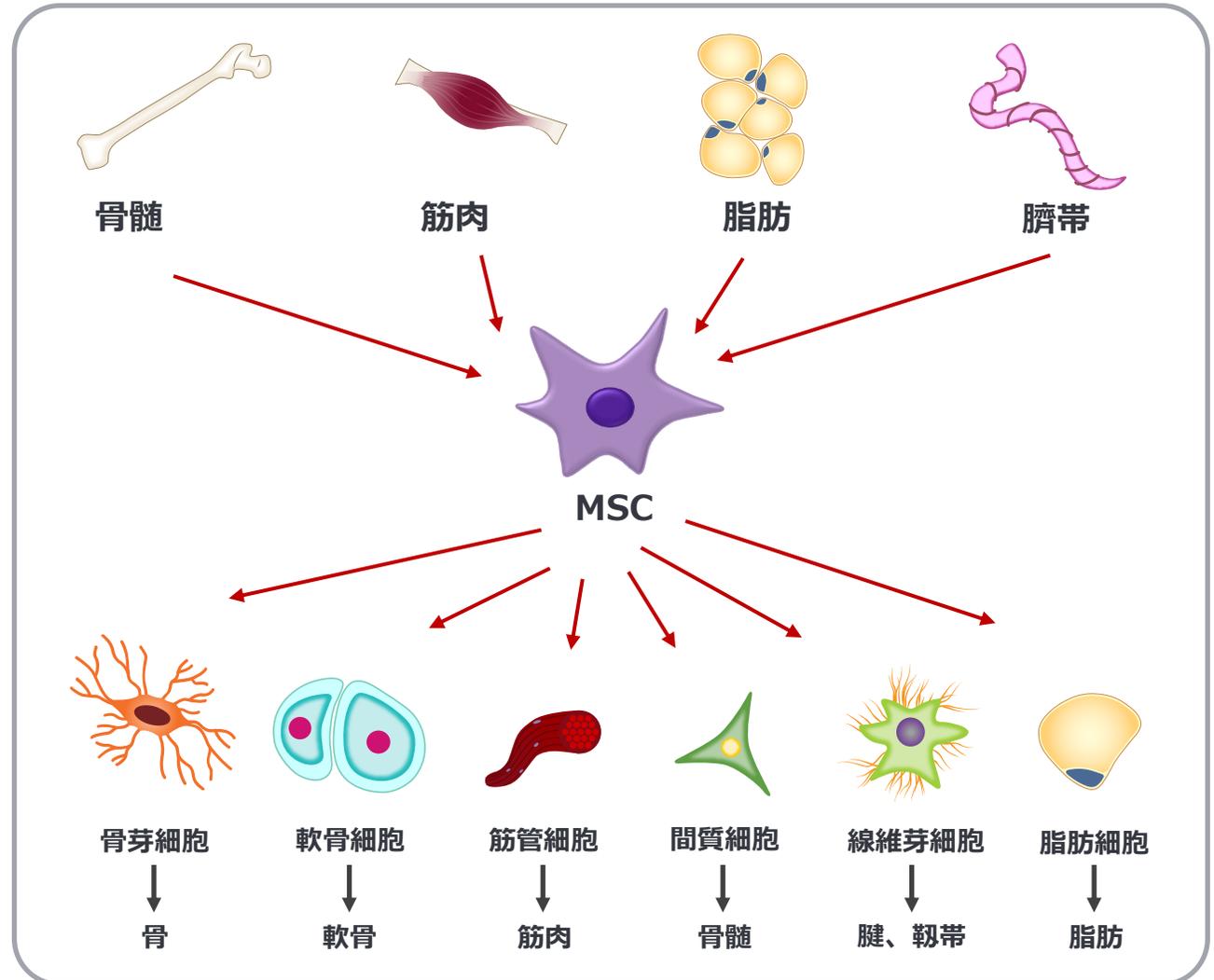


骨髄、筋肉、脂肪、皮膚、
および臍帯等から単離された、
線維芽細胞様の細胞

多くの間質細胞系譜に
分化する能力を持つ

*in vitro*で容易に増殖可能

自家と他家がある



特徴：間葉系幹細胞（MSC）の臨床研究が実施されている治療領域

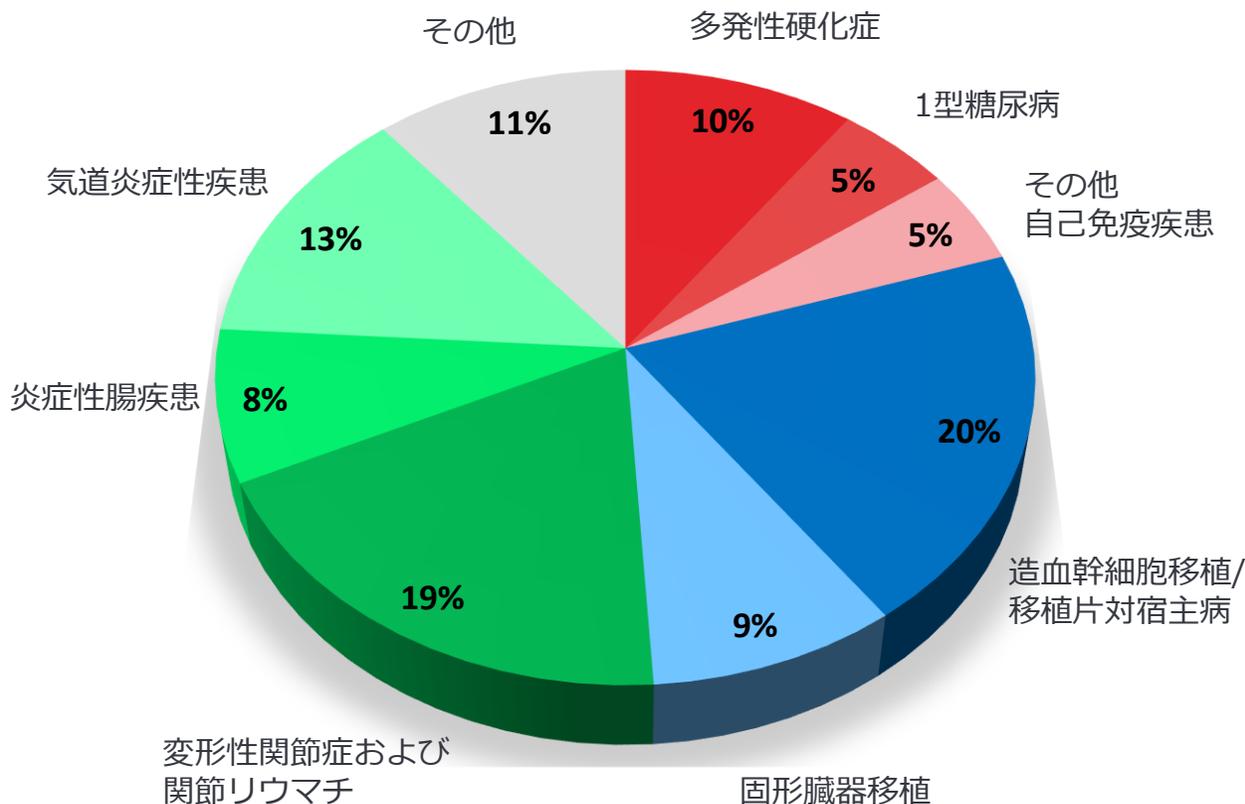


MSCは臨床応用が可能と考えられている

- MSCは、強力な免疫調節作用を有することから、**損傷組織、移植、および自己免疫疾患**などへの応用が期待されている¹
- 骨髄移植後の移植片対宿主病に対する**MSCの免疫抑制効果が臨床試験や実臨床で確認**され、副作用も認められなかった¹
- **各種免疫性炎症性疾患に対してMSCを用いた臨床研究が実施されている**¹
 - 脱髄性神経障害（多発性硬化症）
 - 全身性エリテマトーデス
 - クロウン病

免疫性炎症性疾患におけるMSCの検討状況（2016）²

【海外データ】



特徴：脂肪組織由来幹細胞（ASC）の利点



間葉系幹細胞（MSC）は様々な組織から採取が可能であり、
そのうち、脂肪組織から採取し培養したMSCは、脂肪組織由来幹細胞（ASC）と呼ばれる

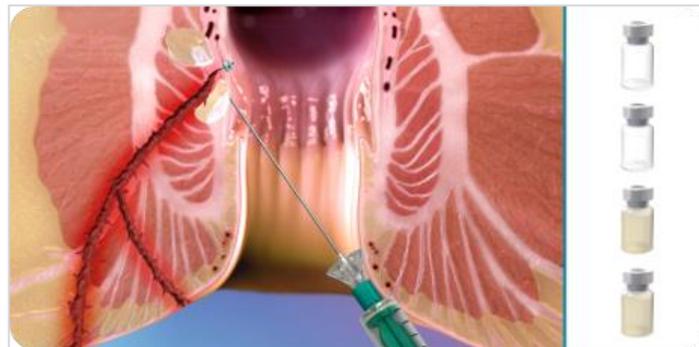
ASCの長所には以下のものがある；

- 細胞の採取が簡便（脂肪吸引術等により入手）
- 組織内の間葉系幹細胞が多い（同じ量の骨髄組織より500倍以上）
- 骨髄由来幹細胞より増殖のスピードが速く、容易に必要な量を確保可能

特徴：アロフィセルの製品特性



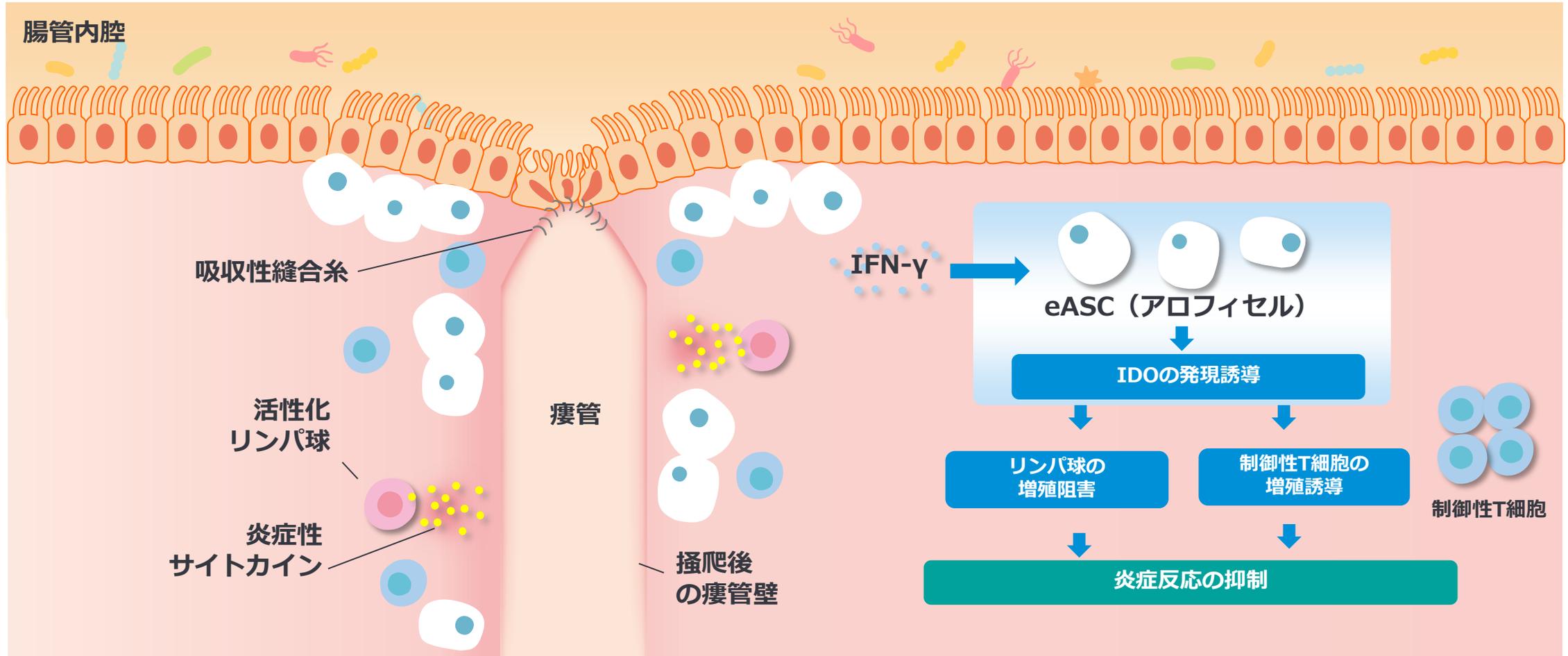
- 非活動期又は軽症の活動期クローン病患者における複雑痔瘻の治療を目的として開発された、脂肪由来間葉系幹細胞（eASC*）を含む低侵襲な手技により投与する
当社初の細胞治療製品
- 2018年に欧州においてアロフィセル（一般名：ダルバドストロセル）の販売許可を取得し、2022年2月時点で35カ国で承認されている
- 投与前には瘻管に対する搔爬および一次口の縫合等の処置を行う必要がある
- アロフィセルは、講習を受けた医師により、一次口の周囲および瘻管壁に沿って投与される



VIDEO

特徴：アロフィセルの作用する主な免疫調節機序

アロフィセルの注射により、局所での炎症反応を抑制し、瘻孔周囲の組織が修復すると考えられている



eASC : ヒト (同種) 脂肪組織由来幹細胞 ; IDO : インドールアミン-2,3-ジオキシゲナーゼ ; IFN- γ : インターフェロン γ

臨床試験：欧州におけるアロフィセルの開発



- アロフィセルはADMIRE-CD試験（検証試験）に基づき欧州で承認を取得
- アロフィセルは24週目および52週目の複合寛解において、コントロール群よりも優れていた

海外の主要な臨床試験

第3相：Cx601-0302（ADMIRE-CD）

デザイン：多施設共同、並行群間比較、無作為化、二重盲検
プラセボ対照試験

対象：治療抵抗性のクローン病に伴う複雑痔瘻
(211例；ITT集団)

主要評価項目：24週時点の複合寛解率

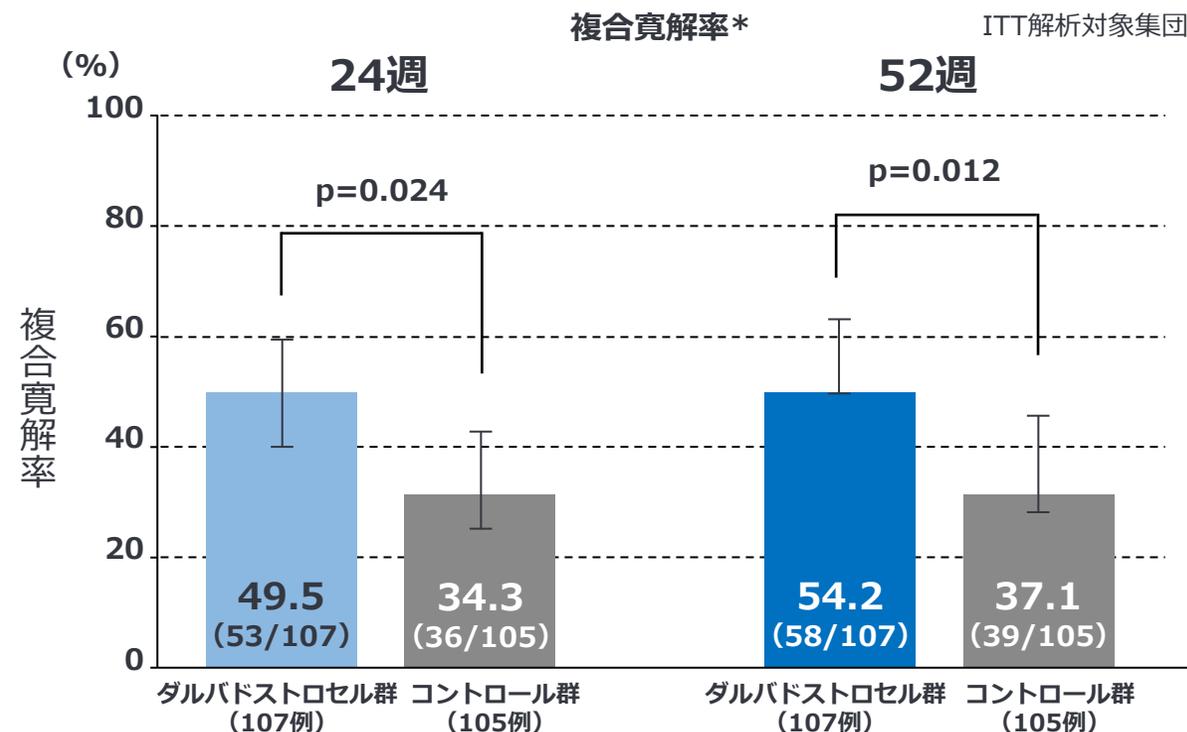
ADMIRE-CD試験の52週時点の安全性プロファイル

	ダルバドストロセル群 (103例)	コントロール群 (102例)
TEAE (全グレード)	76.7%	72.5%
重篤な有害事象	24.3%	20.6%

*複合寛解:

スクリーニング時に排膿があり、すべての二次口が軽い指押しを行っても排膿がみられず閉鎖したと臨床的に確認され、かつ、瘻孔内に2cmを超える膿瘍がないことがMRI画像の中央判定で確認された場合。

ADMIRE-CD^{1, 2}

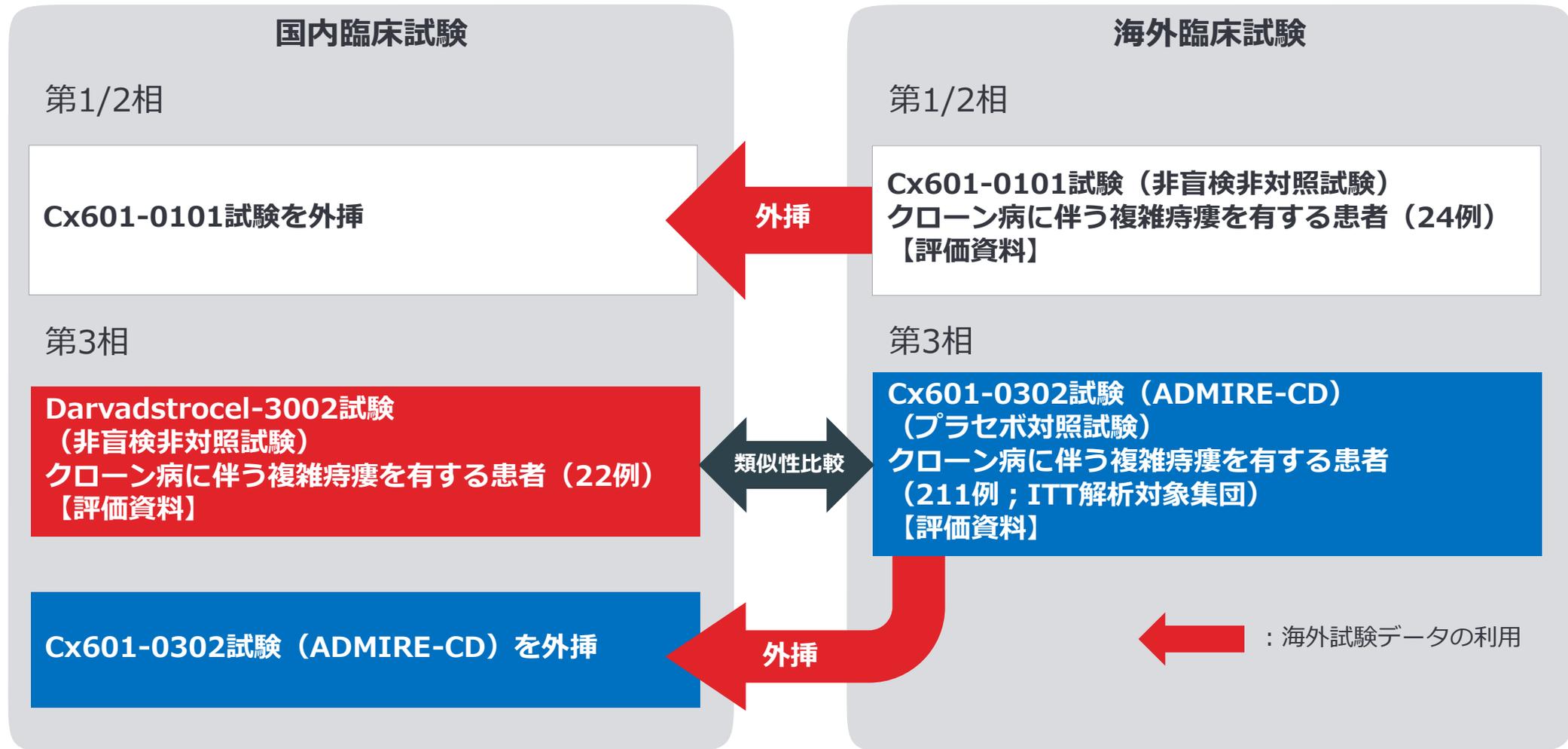


p値：無作為化時の層別因子（抗TNFα抗体製剤又は免疫調節薬の併用の有無）で調整したCochran-Mantel-Haenszel検定

臨床試験：日本における開発戦略（臨床データパッケージ）



臨床データパッケージについては、事前にPMDAと協議および調整を行った上で決定



Darvadstrocel-3002試験およびADMIRE-CD試験の類似性の比較検討

国内臨床第3相試験

第3相：Darvadstrocel-3002¹

治療抵抗性のクローン病に伴う複雑痔瘻を有する患者
(22例；ITT解析対象集団)

デザイン:非盲検、非対照、多施設共同試験

海外臨床第3相試験

第3相:Cx601-0302 (ADMIRE-CD)^{2,3}

治療抵抗性のクローン病に伴う複雑痔瘻を有する患者
(211例；ITT解析対象集団)

デザイン:無作為化、二重盲検、並行群間比較、
プラセボ対照、多施設共同試験

国:オーストリア、ベルギー、フランス、ドイツ、イスラエル
イタリア、オランダ、スペイン

● 主目的

成人のクローン病に伴う複雑痔瘻の治療におけるダルバドストロセルの有効性を24週間にわたり検討する

● 評価項目

- 主要評価項目：24週後時点で複合寛解*を達成した被験者の割合
- 主な副次評価項目：52週後時点で複合寛解*を達成した被験者の割合

*複合寛解:

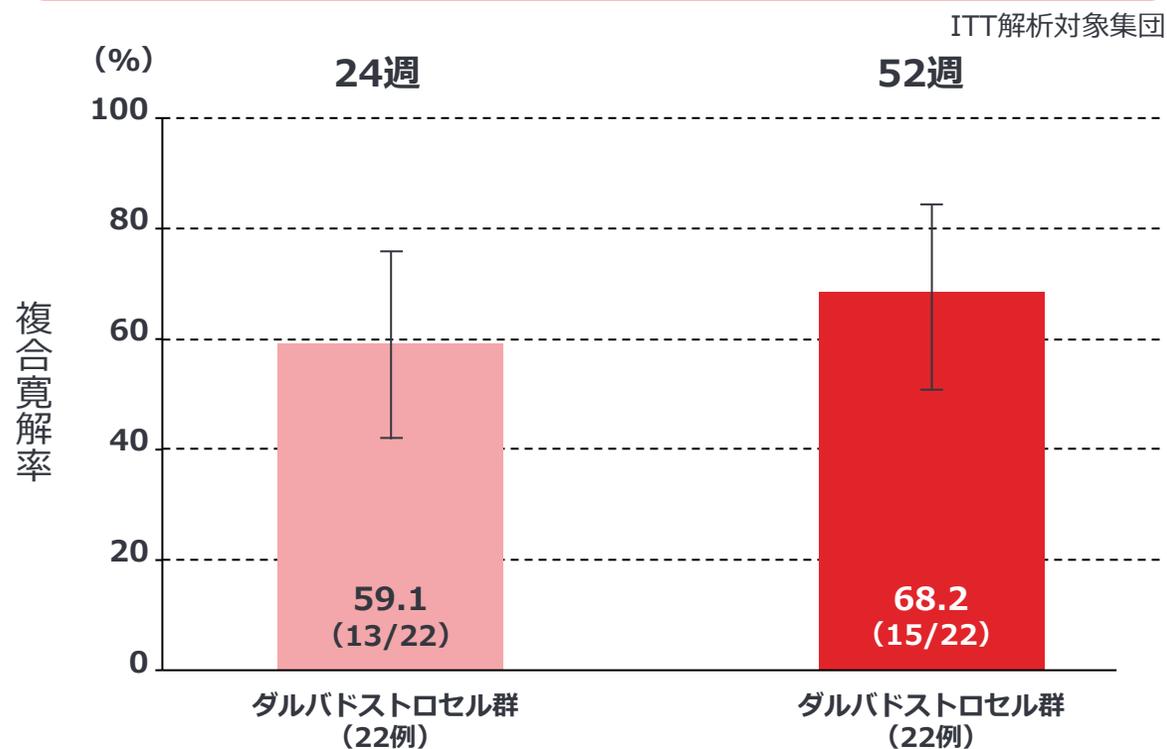
スクリーニング時に排膿があり、すべての二次口が軽い指押しを行っても排膿がみられず閉鎖したと臨床的に確認され、かつ、瘻孔内に2cmを超える膿瘍がないことがMRI画像の中央判定で確認された場合。

臨床試験：24週および52週時点の複合寛解率

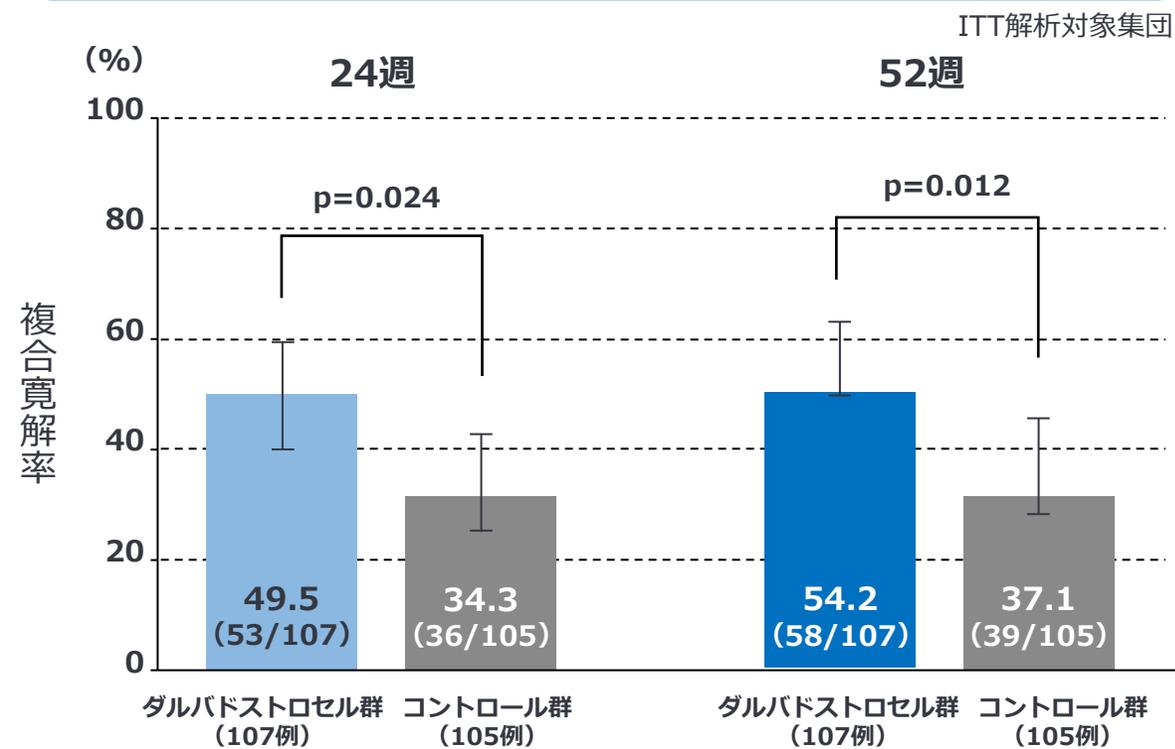


日本人患者さんにおける有効性は、ADMIRE-CDと同等

Darvadstrocel-3002¹



ADMIRE-CD^{2, 3}



ITT解析対象集団、52週時の臨床評価が不能の場合は、ベースライン以降の直近の来院時（該当する場合、Week 52より前の早期中止来院を含む）のLOCFを適用。

p値：無作為化時の層別因子（抗TNFα抗体製剤又は免疫調節薬の併用の有無）で調整したCochran-Mantel-Haenszel検定

臨床試験：52週時点の再発率



- 日本人患者さんにおける有効性は、ADMIRE-CDと同等
- 本結果は、日本人患者さんにおいて24週以降も有効性が持続することを示唆

ITT解析対象集団

	Darvadstrocel-3002 ^{1, 2}	ADMIRE-CD ^{1, 3}	
群	ダルバドストロセル群（22例）	ダルバドストロセル群（107例）	コントロール群（105例）
割合（% [例数]）	23.1（3/13）	25.0（13/52）	44.1（15/34）
95%信頼区間	[0.2、46.0]	[13.2、36.8]	[27.4、60.8]

再発：二次口のいずれかで排膿を伴う再開通が臨床的に確認された場合、または瘻孔内に2cmを超える膿瘍がMRI画像の中央判定で確認された場合。

臨床試験：有害事象の概要



Darvadstrocel-3002およびADMIRE CDの試験間において、TEAEの割合および種類は類似傾向を示した

	Darvadstrocel-3002 ¹	ADMIRE-CD ²	
	ダルバドストロセル群 (22例)	ダルバドストロセル群 (103例)	コントロール群 (102例)
	被験者数 (%)	被験者数 (%)	被験者数 (%)
試験治療下で発現した有害事象	20 (90.9)	79 (76.7)	74 (72.5)
関連なし	18 (81.8)	71 (68.9)	69 (67.6)
関連あり	2 (9.1)	21 (20.4)	27 (26.5)
軽度	12 (54.5)	57 (55.3)	59 (57.8)
中等度	6 (27.3)	54 (52.4)	52 (51.0)
高度	2 (9.1)	10 (9.7)	12 (11.8)
治験の中止に至る場合	0 (0.0)	9 (8.7)	9 (8.8)
試験治療下で発現した重篤な有害事象	4 (18.2)	25 (24.3)	21 (20.6)
関連なし	3 (13.6)	19 (18.4)	16 (15.7)
関連あり	1 (4.5) *	7 (6.8)	7 (6.9)
治験の中止に至る場合	0 (0.0)	6 (5.8)	7 (6.9)
死亡	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)

【日本人患者におけるアロフィセルの安全性プロファイルの要約】

安全性解析対象集団

- 発現率が10%以上のTEAEは、肛門周囲痛 (27.3%)、上咽頭炎 (22.7%) および痔瘻 (18.2%) であった
- 多くが軽度または中等度であった。投与中止に至った有害事象は認められず、投与後の死亡例も認められなかった
- 治験薬と関連のあるTEAEは、クローン病、下痢および血中ビリルビン増加 (各1例) であった
- 重篤なTEAEは、クローン病、腸閉塞、腸管吻合合併症、尿路結石および尿細管間質性腎炎が各1例であった
このうち治験薬と関連のある有害事象はクローン病のみであった

アロフィセルは、投与対象や適応症の拡大を目指し、米国を含めグローバルで臨床試験が進行中

試験名	対象	被験者数	フェーズ	概要
Cx601-0303試験 (ADMIRE-CD II) NCT03279081	非活動期又は軽度のクローン病患者の複雑痔瘻	554例	第3相	非活動期又は軽度のクローン病患者を対象に、複雑痔瘻に対するダルバドストロセルの有効性及び安全性を24週間および最長52週間の追跡調査期間にわたり評価する二重盲検比較試験
Darvadstrocel-3002試験 NCT03706456	日本人における非活動期又は軽度のクローン病成人患者の複雑痔瘻	22例	第3相	非活動期又は軽度のクローン病を有する日本人成人患者を対象に、複雑痔瘻に対するダルバドストロセルの有効性及び安全性を24週間および最長156週間の追跡調査期間にわたり評価する非盲検試験
Darvadstrocel-3003試験 NCT04075825	Cx601-0303試験に参加したクローン病患者の複雑痔瘻	150例	第3相試験のフォローアップ	Cx601-0303試験に参加したクローン病患者を対象に、複雑痔瘻の治療におけるダルバドストロセルの長期的な安全性および有効性を評価する追跡調査試験
Darvadstrocel-3004 NCT04701411	4歳以上18歳未満の小児クローン病患者の複雑痔瘻	20例	第3相	複雑痔瘻を有する4歳以上18歳未満の小児患者を対象に、ダルバドストロセルの安全性および有効性を評価する非盲検小児試験 (欧州医薬品庁 (EMA) 小児委員会が支持する小児調査計画 (PIP) の一環として実施)
Alofisel-4001 NCT04118088	非活動期又は軽度のクローン病患者の複雑痔瘻	50例	第4相	ダルバドストロセルの反復投与を評価する第4相市販後安全性試験 (PASS) (ダルバドストロセルの反復投与の安全性および有効性に関する更なるエビデンスを提示するため、欧州医薬品庁 (EMA) の要請により開始)

アロフィセルの製造および供給



最先端の製造施設として変革をリード

細胞治療製品の製造施設に以下を導入：

- 高速無菌化技術
- 細胞製剤特有の高度な試験および迅速試験法・機器
- 製造実行システム（MES）およびビッグデータ分析



サプライチェーンマネジメント（SCM）

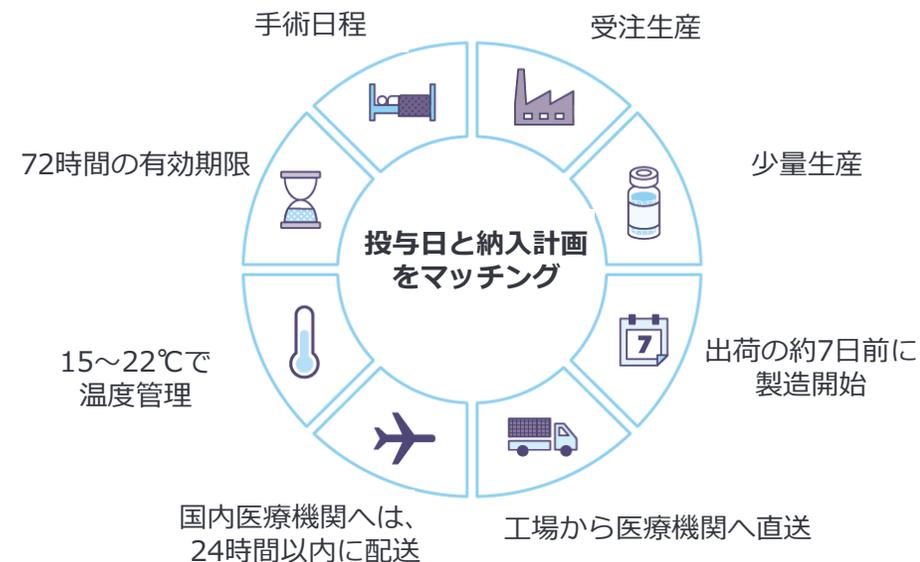
アロフィセルの有効期限は72時間であるため、受注生産モデルにより供給。予定通りに患者さんがアロフィセルでの治療を受けられるように、厳格な輸送管理のもと、工場から医療機関へ直送。

SCMシステム

輸送パートナーと連携してアロフィセル専用構築されたクラウド型のサプライチェーンマネジメントシステムを用いて、一元管理と可視化を実現。工場から出荷された瞬間から、当社のみならず医療機関も製品の追跡が可能。

輸送管理

パッシブ型保冷箱を用いて製品の出荷から投与までの間、厳密な温度管理を実施。またGDPに準拠した温度とGPSによるリアルタイムの監視による、輸送リスクの最小化を実現。



物流における取り組み



日本

日本のほぼ中心に位置し陸空交通の便のよい大阪は地理的な利点大きい。最先端技術を用い、高いレベルで保証された品質の細胞医薬品を、大阪工場を拠点に、迅速に日本の患者さんにお届けすることが可能。



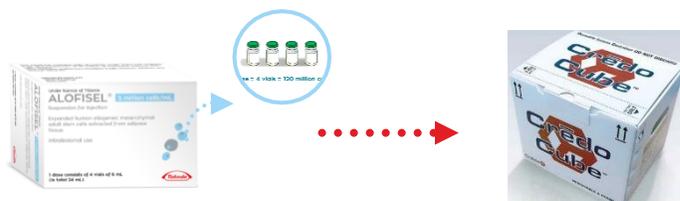
本州・四国・九州へは
主にトラック輸送



北海道・沖縄へは空輸

欧州

現地での出荷や卸売業者とのやり取りは行われず、工場から医療機関へ直送し、講習を受けた受取人の手に直接届けられる。2021年12月時点で、18カ国において約500名の患者さんがマドリード工場から出荷されたアロフィセルの投与を受けている。(グレンジ・キャッスル工場からの出荷は2022年2月を予定)



22時間

平均輸送時間
(欧州圏のみ)



患者さん

4時間前

治療開始の最低4時間前
までの配送を保証



クローン病に伴う複雑痔瘻は、身体的、社会的および精神的な健康を含む健康関連QoL（HRQoL）を著しく低下させる



外科的治療および生物学的治療の選択肢が限られている中、従来の治療を受けた患者さんの最大70%において再発が認められる^{1,2,3}



アロフィセルは、低侵襲な手技により投与される、免疫調節性および抗炎症性の作用機序を有する再生医療等製品である



アロフィセルは細胞治療として、少なくとも1つの既存治療薬による治療を行っても効果不十分であった日本人の非活動期または軽度のクローン病患者さんにおける複雑痔瘻に対する、新しい治療選択肢となる可能性がある

QoL：生活の質

1. Panes J, Reinisch W, Rupniewska E, Khan S, et al. Burden and outcomes for complex perianal fistulas in Crohn's disease: Systematic review. World J Gastroenterol. 2018; 24(42): 4821-4834.
2. Gold S, Cohen-Mekelburg S, Schneider Y, Steinlauf A. perianal fistulas in patients with Crohn's disease, Part 1: current medical management. Gastroenterol Hepatol. 2018;14(8):470-481.
3. Lightner A. Cell-based therapy for Crohn's disease: time to consider optimization. Nat Rev Gastroenterol Hepatol. 2019;16(3): 137-138.

アジェンダ

プレゼンター

1. 消化器系疾患領域における当社の取り組み

鹿村 光宏
領域戦略ユニット (GI)
シニア クリニカル サイエンス ディレクター

2. 短腸症候群

宮本 昌和
領域戦略ユニット
課長代理 (Marketed Products Group担当)

3. クロウン病に伴う複雑痔瘻

田中 智子
領域戦略ユニット (GI)、アソシエイト メディカル ディレクター
山口 貴義
領域戦略ユニット (GI)、課長代理

4. 質疑応答

Q&Aパネリスト

Q&Aパネリスト

鹿村 光宏	宮本 昌和	田中 智子	山口 貴義	河村 栄美子	近藤 泰輔
領域戦略ユニット (GI) シニア クリニカル サイエンス ディレクター	領域戦略ユニット 課長代理 (Marketed Products Group担当)	領域戦略ユニット (GI) アソシエイト メディカル ディレクター	領域戦略ユニット (GI) 課長代理	領域戦略ユニット Marketed Products Group ジャパンサイト ヘッド	領域戦略ユニット メディカル ディレクター (Marketed Products Group担当)

Appendix



2021年に日本において承認された2つの革新的な消化器疾患治療薬



Gattex/レベスティブ (テデュグルチド)

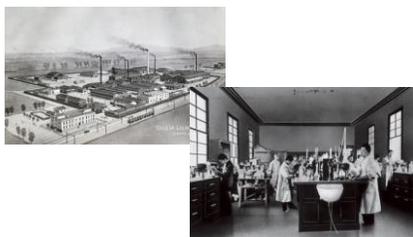
アロフィセル (ダルバドストロセル)

適応症	短腸症候群 (SBS : Short Bowel Syndrome)	クローン病に伴う複雑痔瘻 (CPF : Complex Crohn's Perianal Fistulas)
承認状況 (承認年月)	下記を含む 47カ国 で承認 米国 [2012年12月 (成人)、2019年5月 (小児 ¹)] 欧州 [2012年8月 (成人)、2016年6月 (小児 ¹)] 日本 [2021年6月 (成人、小児、幼児)]	下記を含む 35カ国 で承認 欧州 ² [2018年3月] 日本 ² [2021年9月]
作用機序	グルカゴン様ペプチド2受容体アナログ (GLP-2 RA)	炎症部位における免疫調節作用及び抗炎症作用
患者さん、ご家族、 医療関係者の方々にとって 新たな機会とは？	SBSにおける小腸吸収能の改善補助ために 承認された初めて且つ唯一のGLP-2	非活動期又は軽症の活動期クローン病患者さんにおける 複雑CPFの治療として承認された初の幹細胞治療 当社初の細胞治療

日本および欧州の主要製造施設

大阪工場（日本）

1915年に設立され、当社の製造および供給ネットワークの中で長い歴史を有する工場のひとつ。100年以上の間、固形製剤、注射剤および無菌製造など様々な技術と能力を継承。現在は無菌注射剤工場として新しい製造施設を拡張しながら、最先端の技術をリードし、今後もグローバルにおいて競争力を発揮する。



マドリード工場（スペイン）

マドリード工場は、2018年のTiGenix社買収により当社の製造ネットワークに加わり、アロフィセルの生産を開始した初の製造工場。2018年にEMAよりアロフィセルが承認されて以降、欧州18カ国にアロフィセルを供給している。2021年9月、高まるアロフィセルへの需要に対応するため、マドリード工場における同製品の生産能力を3倍に増強。



グレンジ・キャッスル工場（アイルランド）

2007年、当社初の海外における原薬製造拠点として操業を開始。2021年10月に、細胞治療の生産施設を開設した。アイルランド初の規模となる最先端の細胞治療製薬施設であり、欧州、米国およびカナダ市場の患者さんに細胞治療という選択肢を提供する上で重要な役割を担うことが期待される。

