

# 新規候補物質の申請および適応拡大が期待される 10の後期開発段階プログラム



		2022年度	2023年度	2024年度	2025-27年度
オンコロジー	EXKIVITY (TAK-788)			1L NSCLC <sup>1</sup> 申請目標	
	modakafusp alfa (TAK-573)		R/R MM Ph2 開始 <sup>2</sup>		R/R MM 申請目標
希少遺伝子疾患 および 希少血液疾患	LIVTENCITY (TAK-620)	1L CMV <sup>3</sup> 申請目標 (米国、欧州)	R/R CMV <sup>3</sup> 申請済 (中国)	1L CMV + R/R CMV <sup>3</sup> 申請目標 (日本)	
	TAK-755	cTTP 申請目標 (米国)	cTTP 申請目標 (欧州、日本、中国)	iTTP Ph2b 読み出し	iTTP 申請目標
	TAK-611		MLD (IT) Ph2 読み出し <sup>4</sup>		
	pabinafusp alfa (TAK-141)				Hunter Syndrome 申請目標
ニューロサイエンス (神経精神疾患)	soticlestat (TAK-935)			DS, LGS 申請目標	
消化器系疾患	fazirsiran (TAK-999)		AATD Liver Disease Ph3 開始		AATD Liver Disease 申請目標
ワクチン	NUVAXOVID (TAK-019)		COVID-19 Vaccine 承認済 (日本)		
	QDenga (TAK-003)		Dengue Vaccine 申請済 (米国)		

- EGFRエクソン20挿入変異を有する非小細胞肺癌
- 再発/難治性の多発性骨髄腫に対する単剤および多剤併用療法を含む複数予定されている臨床第1/2相試験のうち、最初の試験を開始
- 移植後サイトメガロウイルス (CMV) 感染/感染症
- 単群の臨床第2相試験。データ取得後、タイムラインおよび申請を計画

- 少なくとも1つの適応症において、ブレイクスルーセラピー指定 (米国)、PRIME指定 (欧州)
- 少なくとも1つの適応症において、先駆け審査指定 (日本)、ブレイクスルーセラピー指定 (中国)
- ☆ 少なくとも1つの適応症において、希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ) 指定

後期開発プログラム：ピボタル試験を実施中または実施予定のプログラム、またはプルーフ・オブ・コンセプトを達成したプログラム。

- 承認
- 試験開始
- ✔ マイルストーン達成
- プルーフ・オブ・コンセプト/  
臨床第2相試験データ読み出し
- 申請目標：  
承認申請の予想時期

全てのタイムラインは2023年2月2日時点におけるおおよその予測で、変更される場合があります。また臨床試験・承認申請の結果に左右されます。表中の研究開発マイルストーンは一部であり、包括的なものではありません。疾患名の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

# 中期開発段階のパイプラインを引き続き推進



● 少なくとも1つの適応症において、先駆け審査指定（日本）、ブレイクスルーセラピー指定（中国）

★ 少なくとも1つの適応症において、  
希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定

□ ブルー・オブ・コンセプト  
データ読み出し目標

ブルー・オブ・コンセプト（POC）：POCの達成は、ピボタル試験または後期開発プログラムを開始するのに十分な臨床データが得られたことを意味する。

臨床試験データの「読み出し」とは、以下のいずれかの場合を指す：

(1) 該当する臨床データの取得、(2) 取得した臨床データに対する必要な分析およびレビューの完了、(3) (要請される場合または通常の慣例や実務慣行に基づく場合) 取得したデータについて該当する規制当局との協議読み出しが複数のPOC試験に関連する適応症クラス（例、固形がん）を指す場合は、以下のいずれか早い方のタイミング：

(1) 当該適応症クラス初めてのPOC達成、または (2) 当該適応症クラスにおける全てのPOC試験の結果を取得

全てのタイムラインは2023年2月2日時点におけるおおよその予測で、変更される場合があり、また臨床試験・承認申請の結果に左右されます。表中の研究開発マイルストーンは一部であり、包括的なものではありません。疾患名の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

# 成長製品・新製品とその他主要製品の主要市場における ライフ・サイクル・マネジメントのマイルストーン予定



	2022年度	2023年度
<p>オンコロジー</p>		<p><b>ICLUSIG</b> 申請目標 1L Ph+ ALL (米国)</p> <p><b>CABOMETYX</b> 申請目標 CRPC (日本)</p>
<p>希少遺伝子疾患 および 希少血液疾患</p>	<p><b>TAKHZYRO</b> ✓ 申請済 小児HAE (米国、欧州)</p>	<p><b>TAKHZYRO</b> 申請目標 BMA (米国)</p>
<p>消化器系疾患</p>	<p><b>ENTYVIO</b> ✓ 申請済 皮下注製剤 CD (日本)</p>	<p><b>ENTYVIO</b> 申請目標 皮下注製剤 UC、CD (米国)<sup>1</sup></p> <p><b>ALOFISEL</b> 申請目標 複雑痔瘻 (米国)</p>
<p>血漿分画製剤</p>	<p><b>HYQVIA</b> 申請目標 CIDP (米国、欧州)</p> <p><b>TAK-880</b> ✓ 申請済 RTU IgG低IgA (米国)</p> <p><b>CUVITRU</b> ✓ 申請済 PID、SID (日本)</p>	

承認
  試験データ読み出し
  申請目標
 ✓ マイルストーン達成

1. 米国における潰瘍性大腸炎 (UC) に対するENTYVIO皮下注製剤は、2019年に米国食品医薬品局 (FDA) より審査完了通知 (CRL) を受領しており、再申請となる

全てのタイムラインは2023年2月2日時点におけるおおよその予測で、変更される場合があり、また臨床試験・承認申請の結果に左右されます。表中の研究開発マイルストーンは一部であり、包括的なものではありません。疾患名の略語用語集は参考資料をご参照下さい。

# 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

<b>AATD</b>	$\alpha$ 1-antitrypsin deficiency ( $\alpha$ 1アンチトリプシン欠乏症)	<b>DOAC</b>	direct oral anti-coagulation (直接作用型経口抗凝固薬)	<b>MAOB</b>	monoamine oxidase B (モノアミン酸化酵素B)	<b>PONV</b>	post-operative nausea and vomiting (術後の悪心・嘔吐)
<b>AATD-LD</b>	$\alpha$ 1-antitrypsin deficiency associated liver disease ( $\alpha$ -1アンチトリプシン欠乏症による肝疾患)	<b>DS</b>	Dravet syndrome (ドラベ症候群)	<b>MDD</b>	major depressive disorder (うつ病)	<b>PRIME</b>	Priority medicines scheme by EMA (EMAによる優先審査制度)
<b>ADAMTS13</b>	a disintegrin and metalloproteinase with a thrombospondin type 1 motif	<b>EE H</b>	erosive esophagitis healing (びらん性食道炎の治癒)	<b>MG</b>	myasthenia gravis (重症筋無力症)	<b>PTCL</b>	peripheral T-cell lymphoma (末梢性T細胞リンパ腫)
<b>ADHD</b>	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	<b>EE M</b>	erosive esophagitis maintenance (びらん性食道炎の再発予防)	<b>MLD</b>	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	<b>PTH</b>	parathyroid hormone (副甲状腺ホルモン)
<b>ALK</b>	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	<b>EGFR</b>	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	<b>MM</b>	multiple myeloma (多発性骨髄腫)	<b>R/R</b>	relapsed/refractory (再発/難治)
<b>ALCL</b>	anaplastic large-cell lymphoma (未分化大細胞型リンパ腫)	<b>EMA</b>	European Medicines Agency (欧州医薬品庁)	<b>MMN</b>	multifocal motor neuropathy (多巣性運動ニューロパチー)	<b>RCC</b>	renal cell cancer (腎細胞がん)
<b>ALL</b>	acute lymphocytic leukemia (急性リンパ性白血病)	<b>EU-M4all</b>	EU-Medicines for all	<b>mNSCLC</b>	metastatic non-small cell lung cancer (転移性非小細胞肺がん)	<b>RTU</b>	ready to use (調整済み)
<b>AVA</b>	Advanced Vial Access (改良型バイアルアクセス)	<b>FDA</b>	the U.S. Food & Drug Administration (米国食品医薬品局)	<b>MSA</b>	multiple system atrophy (多系統萎縮症)	<b>SALCL</b>	systemic anaplastic large cell lymphoma (全身性未分化大細胞リンパ腫)
<b>BBB</b>	blood brain barrier (血液脳関門)	<b>FL</b>	front line (フロントライン適応)	<b>NBE</b>	New Biological Entity (新規生物学的製剤)	<b>SBS</b>	short bowel syndrome (短腸症候群)
<b>BLA</b>	biologics license application (生物製剤承認申請)	<b>FSI</b>	first subject in (最初の患者登録)	<b>NCE</b>	New Chemical Entity (新規化合物)	<b>SC</b>	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
<b>BMA</b>	bradykinin mediated angioedema (ブラジキニン介在性血管性浮腫)	<b>FY</b>	fiscal year (年度)	<b>ND</b>	newly diagnosed (新たに診断された)	<b>SCD</b>	sickle cell disease (鎌状赤血球症)
<b>BTD</b>	breakthrough therapy designation (画期的新薬指定)	<b>GI</b>	gastrointestinal (胃腸)	<b>NDA</b>	new drug application (新薬承認申請)	<b>SCPCD</b>	severe congenital protein C deficiency (重症先天性プロテインC欠乏症)
<b>CAR-T</b>	chimeric antigen receptor-T (次世代型キメラ抗原受容体発現T細胞)	<b>GU</b>	gastric ulcer (胃潰瘍)	<b>NEJM</b>	New England Journal of Medicine	<b>SCT</b>	stem cell transplant (幹細胞移植)
<b>CD</b>	Crohn's disease (クローン病)	<b>GvHD</b>	graft versus host disease (移植片対宿主病)	<b>NHL</b>	non-Hodgkin's lymphoma (非ホジキンリンパ腫)	<b>SID</b>	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
<b>CHMP</b>	Committee for Medicinal Products for Human Use (欧州医薬品委員会)	<b>HAE</b>	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	<b>NK</b>	natural killer (ナチュラルキラー)	<b>SLE</b>	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
<b>CIDP</b>	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髄性多発根神経炎)	<b>H2H</b>	head to head (直接比較)	<b>NME</b>	new molecular entity (新規候補物質)	<b>SOC</b>	standard of care (標準治療)
<b>CLL</b>	chronic lymphocytic leukemia (慢性リンパ性白血病)	<b>HemA</b>	hemophilia A (血友病A)	<b>NMPA</b>	National Medical Products Administration (中国国家薬品监督管理局)	<b>STING</b>	stimulator of interferon genes (インターフェロン遺伝子刺激因子)
<b>CML</b>	chronic myeloid leukemia (慢性骨髄性白血病)	<b>HL</b>	Hodgkin's lymphoma (ホジキンリンパ腫)	<b>NSCLC</b>	non-small cell lung cancer (非小細胞肺がん)	<b>SUMO</b>	small ubiquitin-related modifier (低分子ユビキチン様修飾因子)
<b>CMV</b>	cytomegalovirus (サイトメガロウイルス)	<b>HSCT</b>	hematopoietic stem cell transplant (造血幹細胞移植)	<b>NSCT</b>	non-stem cell transplant (非幹細胞移植)	<b>TCE</b>	T-cell engager (T細胞誘導療法)
<b>CNS</b>	central nervous system (中枢神経系)	<b>IBD</b>	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	<b>NT1 or NT2</b>	narcolepsy Type 1 (ナルコレプシータイプ1) or narcolepsy Type 2 (ナルコレプシータイプ2)	<b>TE</b>	Treatment emergent (治療関連)
<b>CPF</b>	complex perianal fistulas (肛門周囲複雑瘻孔)	<b>IgAN</b>	immunoglobulin A nephropathy (IgA腎症)	<b>ORR</b>	overall response rate (全奏効率)	<b>TKI</b>	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
<b>CRC</b>	colorectal cancer (結腸直腸がん)	<b>IH</b>	idiopathic hypersomnia (特発性過眠症)	<b>OSA</b>	obstructive sleep apnea (睡眠時無呼吸症候群)	<b>TREM2</b>	triggering receptor expressed on myeloid cells 2
<b>CRL</b>	complete response letter (審査完了報告通知)	<b>INCAT</b>	Inflammatory neuropathy cause and treatment disability score (INCATスコア)	<b>PARP</b>	poly (ADP-ribose) polymerase (ポリADPリボースポリメラーゼ)	<b>TTP</b>	thrombotic thrombocytopenic purpura (血栓性血小板減少性紫斑病)
<b>CRPC</b>	Castrate-resistant prostate cancer (去勢抵抗性前立腺がん)	<b>IND</b>	investigational new drug (治験薬)	<b>PAS</b>	prior approval supplement (重大な変更: 事前変更申請)	<b>TYK2</b>	tyrosine kinase 2 (チロシンキナーゼ2)
<b>CTCL</b>	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	<b>iNHL</b>	indolent non-Hodgkin's lymphoma (低悪性度非ホジキンリンパ腫)	<b>PCD</b>	protein C deficiency (プロテインC欠乏症・異常症)	<b>UC</b>	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
<b>cTTP</b>	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>ITP</b>	immune thrombocytopenic purpura (免疫性血小板減少性紫斑病)	<b>PEX</b>	plasma exchange (血漿交換)	<b>VEGFR</b>	vascular endothelial growth factor receptor (血管内皮増殖因子受容体)
<b>DEE</b>	developmental and epileptic encephalopathies (けいれん性てんかん重積状態)	<b>iTTP</b>	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>Ph+ ALL</b>	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)	<b>VCD</b>	virologically confirmed dengue (ウイルス学的に確認されたデングウイルス感染症)
<b>DLBCL</b>	diffuse large B cell lymphoma (びまん性大細胞型B細胞リンパ腫)	<b>IV</b>	intravenous (静脈投与)	<b>PID</b>	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)	<b>vWD</b>	von Willebrand disease (フォン・ヴィレブランド病)
		<b>iPSC</b>	induced pluripotent stem cells (人工多能性幹細胞)	<b>PK</b>	pharmacokinetics (薬物動態)	<b>vWF</b>	von Willebrand factor (フォン・ヴィレブランド因子)
		<b>LSD</b>	lysosomal storage disorder (ライソゾーム病)	<b>PMDA</b>	Japan's Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (医薬品医療機器総合機構)	<b>WW</b>	Worldwide (全世界)
		<b>LCM</b>	lifecyle management (ライフ・サイクル・マネジメント)	<b>POC</b>	proof of concept (概念実証)		
		<b>LGS</b>	Lennox-Gastaut Syndrome (レノックス・ガスター-症候群)	<b>POGD</b>	post-operative gastrointestinal dysfunction (術後消化器機能障害)		
		<b>mAb</b>	monoclonal antibodies (モノクローナル抗体)				
		<b>mCRC</b>	metastatic colorectal cancer (転移性結腸直腸がん)				
		<b>mCRPC</b>	metastatic castrate-resistant prostate cancer (転移性去勢抵抗性前立腺がん)				