

1Qトピックス (1/2)



2024年4月24日現在

承認	ピアスカイ	発作性夜間ヘモグロビン尿症	2024年2月 (中国) 2024年3月 (日本)
	アレセンサ	ALK陽性早期非小細胞肺癌に対する術後補助療法	2024年4月 (米国)
	ミチーガ	アトピー性皮膚炎に伴うそう痒 (6歳以上13歳未満の小児)、 結節性痒疹 ^{*1}	2024年3月 (日本)
	バビースモ	網膜静脈閉塞症に伴う黄斑浮腫	2024年3月
	Foundation One CDx がんゲノムプロファイル	タラゾパリブのBRCA遺伝子変異陽性の遠隔転移を有する去勢抵抗性前立腺がん	2024年2月
	Foundation One CDx がんゲノムプロファイル	セルペルカチニブのRET融合遺伝子陽性固形がん	2024年2月
	Foundation One CDx がんゲノムプロファイル	カピバセルチブのPIK3CA、AKT1またはPTEN遺伝子変異を有するホルモン受容体陽性、HER2陰性乳がん	2024年3月
申請	ネモリズムマブ	結節性痒疹、アトピー性皮膚炎 ^{*2}	2024年2月 (申請受理) (米国、欧州)
	セルセプト	全身性強皮症に伴う間質性肺疾患	2024年2月
	エブリスディ	未発症の脊髄性筋萎縮症	2024年2月
	モスネツズマブ	濾胞性リンパ腫 (三次治療)	2024年3月
	テセントリク	胞巣状軟部肉腫	2024年3月

オレンジ：自社創製品（グローバル開発）、ブルー：ロシュ導入品（日本開発販売）

*1 国内導出先のマルホ社が開発中、*2 海外導出先のGalderma社が開発中

1Qトピックス (2/2)

2024年4月24日現在

試験開始	RG6299 (ASO Factor B)	IgA腎症	第I相 (2024年2月)
	RG6356/SRP-9001	デュシェンヌ型筋ジストロフィー (歩行不能例)	第III相 (2024年3月)
	glofitamab+ポライビー	初発大細胞型B細胞リンパ腫	第III相 (2024年4月)
Readout	エンズプリング	Luminesce試験 (全身型重症筋無力症) : PE達成 (想定を下回る結果)	2024年3月
	モスネツズマブ	国内第I相試験 (拡大コホート: 濾胞性リンパ腫 (三次治療)) : PE達成	2024年2月
	バビースモ	NIHONBASHI試験 (網膜色素線条) : PE達成	2024年4月
パイプライン除外	エンズプリング	Luminesce試験 (全身型重症筋無力症) : 開発中止	
学会発表	ネモリズマブ	OLYPIA長期継続試験 (結節性痒疹) およびARCADIA 1/2維持試験 (アトピー性皮膚炎) * : 米国皮膚学会 (AAD)年次総会	2024年3月
	バビースモ	BALATON試験およびCOMINO試験 (網膜静脈閉塞症) : Angiogenesis, Exudation, and Degeneration 2024	2024年2月
Priority Review指定	ネモリズマブ	結節性痒疹*	2024年2月 (米国)
導入契約締結	zilebesiran (RNAi治療薬)	高血圧 (Alynlam社創製、ロシュより導入)	2024年4月

オレンジ：自社創製品（グローバル開発）、ブルー：ロシュ導入品（日本開発販売）

*海外導出先のGalderma社が開発中

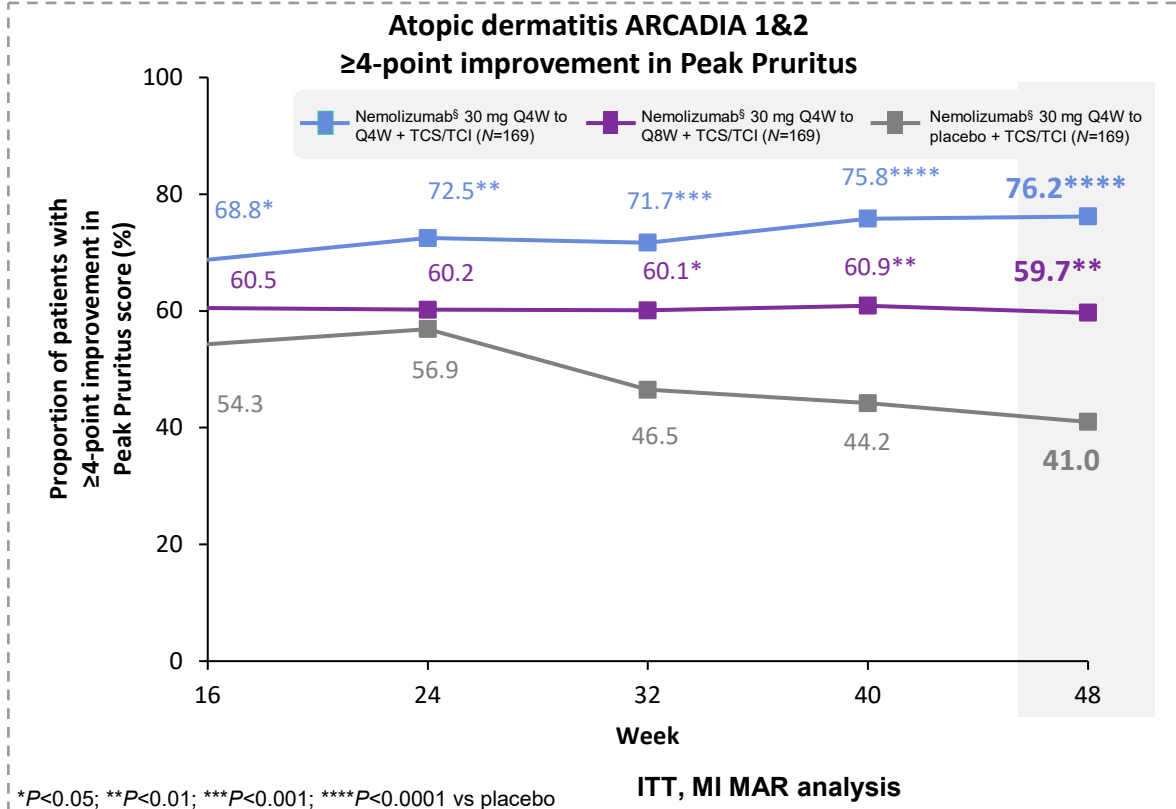
2024年 主要なR&Dイベント

下線・太字：2024年2月1日以降からの変更

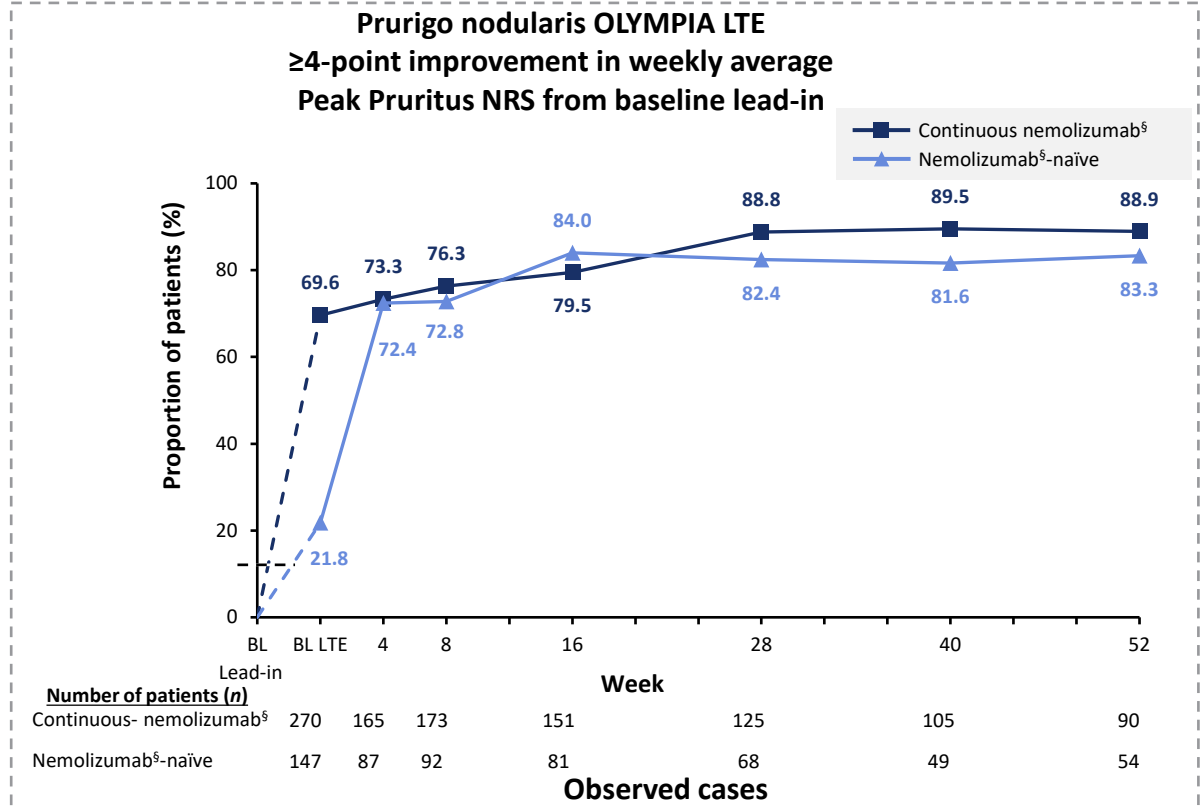
	開発品（製品）名	予定適応症 / 試験名	進捗状況
承認 予定期目	クロバリマブ	発作性夜間ヘモグロビン尿症（日本/欧州/米国）	<u>承認（日本）</u>
	アレセンサ	非小細胞肺癌（アジュバント）（米国/欧州/日本）	<u>承認（米国）</u>
	バビースモ	網膜静脈閉塞症	<u>承認</u>
P3/ピボタル試験 Readout	エンズプリング	Luminesce試験：全身型重症筋無力症	<u>PE達成（想定を下回る結果）</u> / <u>開発中止</u>
	テセントリク+チラゴルマブ	SKYSCRAPER-01試験：非小細胞肺癌（一次治療）	
	モスネツズマブ	国内第Ⅰ相試験（拡大コホート）：濾胞性リンパ腫（三次治療）	<u>PE達成</u>
	モスネツズマブ+ポライビー	SUNMO試験：r/r aNHL	
	バビースモ	NIHONBASHI試験：網膜色素線条	<u>PE達成</u>
P2試験 Readout	GYM329+エブリスディ	MANATEE試験：脊髄性筋萎縮症	

オレンジ：自社創製品（グローバル開発）、ブルー：ロシュ導入品（日本開発販売）

Nemolizumab: Global Ph3 ARCADIA 1&2 maintenance and OLYMPIA LTE studies revealed sustained improvement in pruritus as well as skin lesions*1, *2



The safety profile was consistent across treatment arms and most treatment-related adverse events were non-serious and mild/moderate in intensity.



Long-term safety data were consistent with the previously reported safety profiles in the Phase 3 pivotal trials.

*1 IGA0/1 and EASI-75 success rates in ARCADIA1&2 at 48wk were, IGA0/1: 49.7% (placebo), 60.4% (Q8W, P<0.05) and 61.5% (Q4W, P<0.05), and EASI-75: 63.9% (placebo), 75.7% (Q8W, P<0.05) and 76.3% (Q4W, P<0.05)
 *2 IGA0/1 success rates in OLYMPIA LTE at 52wk were 69.2% (Continuous nemolizumab) and 64.5% (Nemolizumab-naïve)

ITT, intent-to-treat; MAR, missing at random; MI, multiple imputation; N, total number of patients in the treatment group; NRS, Numerical Rating Scale; Q4/8W, every 4/8 weeks; TCI, topical calcineurin inhibitors; TCS, topical corticosteroids
 Weekly PP NRS score was calculated using 7 consecutive days' diary data and set to missing if less than 4 days' data were available. Percentage (%) was calculated using the number of patients with available data (n) at the analysis visit as the denominator. Week 16 measurements serve as maintenance baseline measurements. Strata adjusted P-values were from Cochran-Mantel-Haenszel test adjusting for the stratification variable study. The estimates were from 50 complete datasets by MI with MAR assumption.
[§]Week 16 data were from non-responder imputation.
[§]Galderma is investigating the use of nemolizumab and has not received approval for any indication in any country.
 Nemolizumab or corresponding placebo onto background TCS/TCI. Nemolizumab responder at 16wk were rerandomized to placebo, nemolizumab Q4W or Q8W arms.

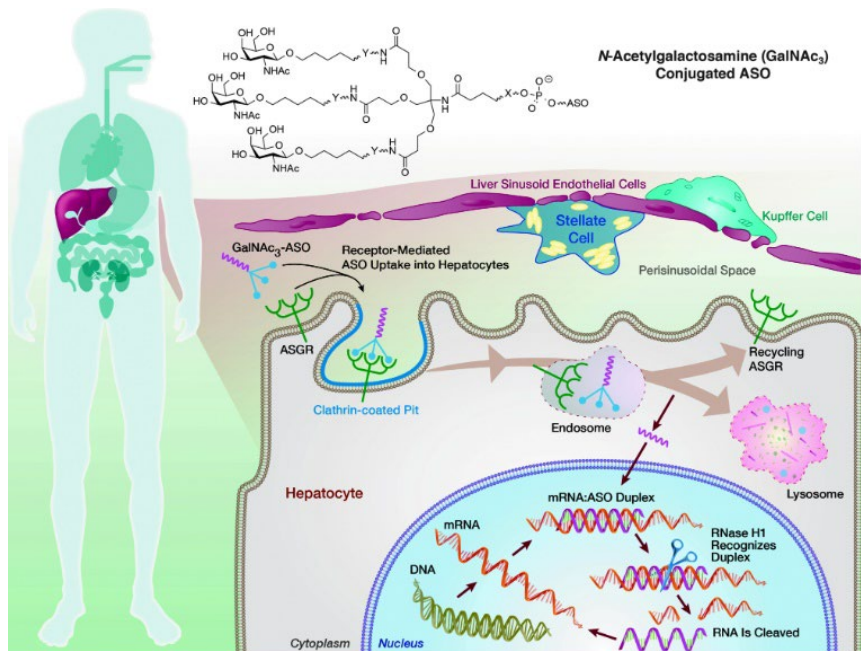
BL, baseline; LTE, long-term extension; n, number of patients with available data based on observed cases for each cohort at the respective visit; NRS, Peak Pruritus Numerical Rating Scale
 Weekly values were calculated as average of 7 consecutive days data up to the actual visit day or target study day (excluding) and set to missing, if <4 days data were available. Baseline Lead-in is defined as the last non-missing value before the first dose of study drug in Lead-in study. Baseline/Day 1 (Baseline LTE) is the last non-missing value prior to first dose of study drug in this study. Observed cases are presented where all observed data even after use of rescue therapy are included; No imputations for missing data. **Continuous nemolizumab[§]**: Patients with a <12-week interval between the last nemolizumab[§] dose in the lead-in study and the first dose in LTE. (Patients could have different exposure duration before entering LTE). **Nemolizumab[§]-naïve**: Patients who never received nemolizumab[§] before LTE
[§]Galderma is investigating the use of nemolizumab and has not received approval for any indication in any country.

ASO(アンチセンスオリゴヌクレオチド) Factor B (RG6299)

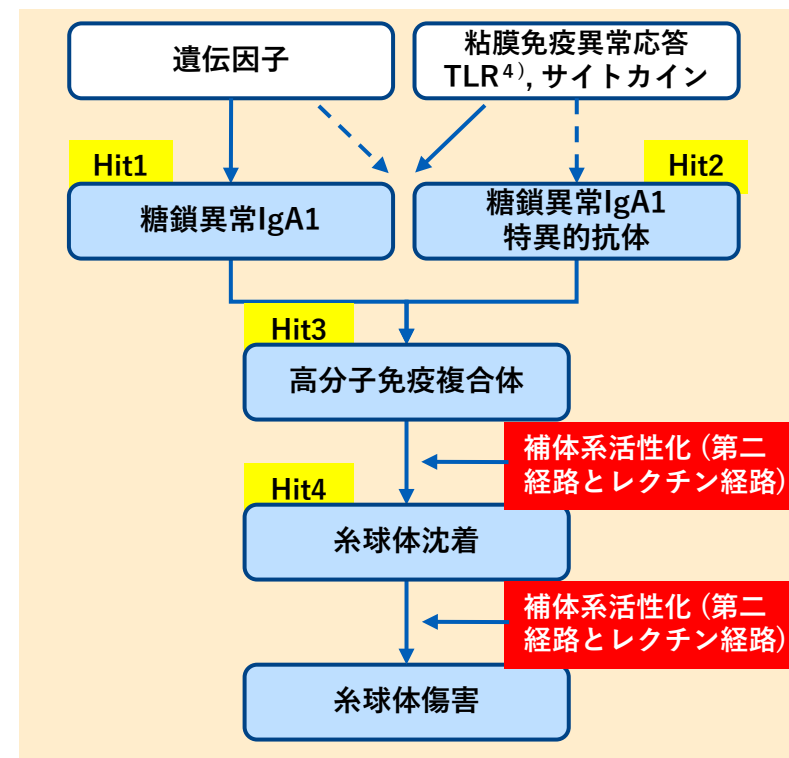
肝細胞に選択的に取り込まれ補体B因子産生を阻害する核酸医薬品

- IgA腎症では糸球体性血尿や蛋白尿などの検尿異常が持続的にみられ、腎臓糸球体へのIgA・補体成分の沈着が認められる。補体第二経路はIgA腎症発症の一因であると考えられており、補体第二経路活性化に参与する分子の一つが補体B因子である。
- ASO Factor Bは、IgA腎症を対象として開発中であり、補体B因子の産生阻害により補体第二経路活性化を抑制するという作用機序を持つ核酸医薬品である。

ASOに結合したN-アセチルガラクトサミン (GalNac) が肝臓においてASGPR¹⁾と結合することにより、肝細胞にASOが選択的に取り込まれる(下図²⁾)。GalNac-ASOは代謝され、ASOが遊離し核内で相補的にmRNAと結合し、標的とする補体B因子の産生を阻害する。



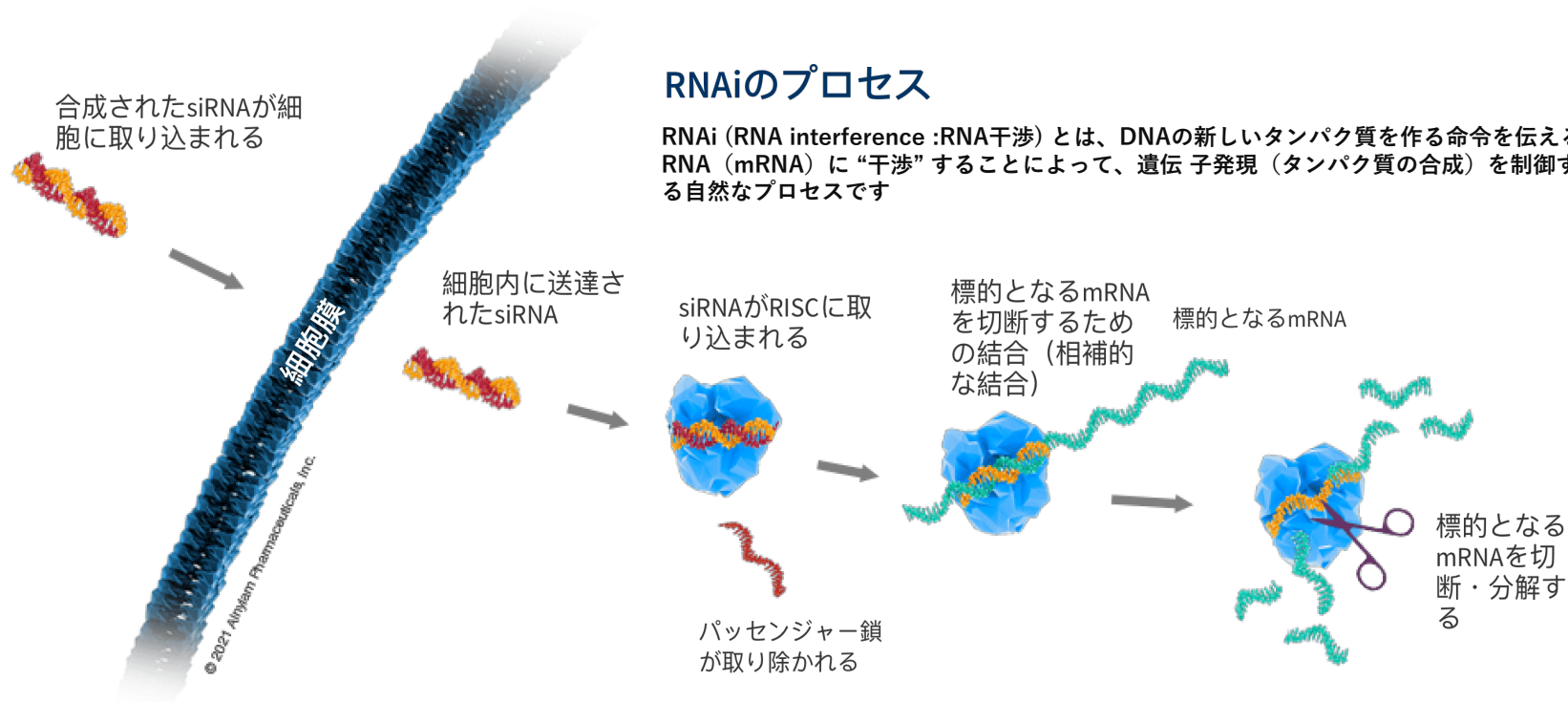
IgA腎症の発症Multi Hit仮説³⁾と補体の関わり



1) ASGPR : アシアロ糖タンパク質受容体 (Asialoglycoprotein receptor); 2) Nucleic Acid Ther. 2019;29(1):16-32; 3) 日腎会誌2015; 57(8)から引用改変 4) TLR : トル様受容体 (Toll-like receptor)

Zilebesiranが有する新規モダリティRNAi治療薬について

RNAiとは細胞内で遺伝子が自然に制御されるRNA干渉という仕組みであり、それに基づく革新的な医薬品の1つがsiRNA製剤である



- siRNA^{*1}であるzilebesiranは、肝細胞内に移行後、RISC^{*2}とたんぱく複合体を形成。たんぱく複合体が、標的mRNAに結合してmRNAを分解することで、疾患原因たんぱく質の合成を抑制する
- siRNAとRISCとのたんぱく複合体は、標的mRNAの分解を複数回行うことができるため、6カ月1回の治療が可能になると想定される。
- siRNAに施された、GalNAc^{*3}結合技術等により、肝細胞内への送達率が上がり、また、皮下注射製剤化も可能となった

*1 siRNA : small interfering RNA

*2 RISC:細胞内に存在するRNA誘導サイレンシング複合体と呼ばれるタンパク質複合体で、二本鎖RNAを認識し、利用することで遺伝子調節(タンパク合成の抑制)の重要な役割を担う

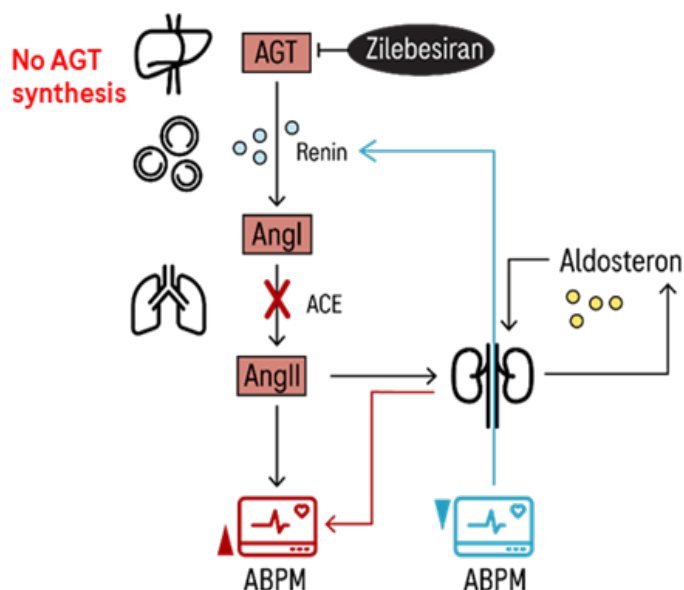
*3 GalNAc : 肝細胞で高発現しているアジアロ糖タンパク質レセプター (ASGPR) のリガンド

引用 : Alnylam Japanホームページより ; <https://www.alnylam.jp/our-science> (2024年3月検索)

Zilebesiranについて

- 高血圧に対するRNAi治療薬 zilebesiranは、持続的なアンジオテンシノーゲン (AGT)の発現抑制により、血圧コントロール不良かつ心血管イベントリスクが高い高血圧患者さんのアンメットメディカルニーズ解決の有力な打ち手の1つとして期待される
- 血圧上昇の機序(RAAS系)とzilebesiranの標的

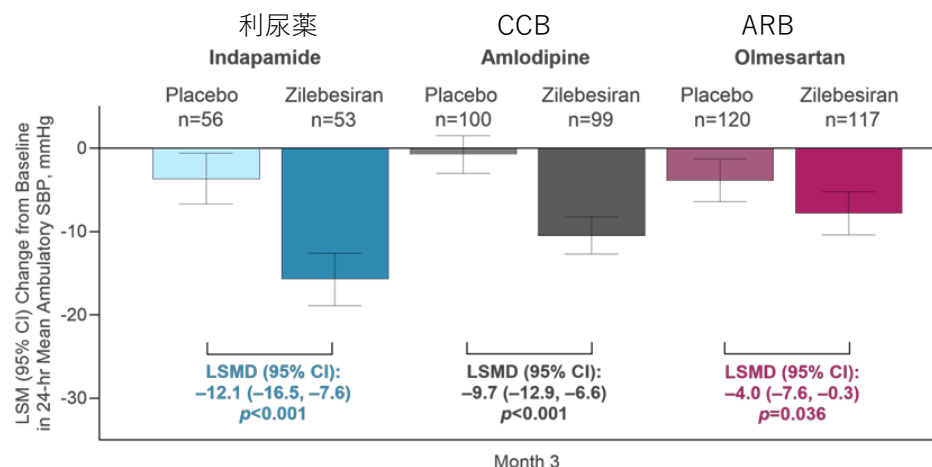
RAAS系:レニン-アンジオテンシン-アルドステロン系
 AngI/II=Angiotensin I/II
 ACE=angiotensin-converting enzyme
 ABPM:Ambulatory Blood Pressure Monitoring



血圧調節に関わるレニン-アンジオテンシン-アルドステロン系最上流の前駆体であるAGTの合成を、mRNAを分解することで持続的に阻害し、最終的にアンジオテンシンIIを減少させることで、降圧効果を示す

海外第2相臨床試験結果*

24時間自由行動下平均収縮期血圧：ベースラインから投与3ヵ月後までの平均変化量（主要評価項目）



Month 3
 CCB：カルシウム拮抗薬、ARB：アンジオテンシン受容体拮抗薬

試験デザイン

- 利尿薬、CCBまたはARBの3コホートにランダム化後、各治療で効果不十分な高血圧患者を対象に、zilebesiranまたはプラセボを単回皮下投与し、有効性・安全性を評価
- ### 結果
- 血清AGTは95%以上低下し、6ヵ月にわたり持続
 - 3ヵ月時点の24時間自由行動収縮期血圧は、プラセボと比較し臨床的に有意な低下
 - 死亡および試験中止に至った有害事象は認められず、低血圧の有害事象は一過性であった

主要プロジェクトの市場売上

国内売上

2024年4月24日現在

自社創製品	適応症	国内売上*1	ロシュ品	適応症	国内売上*1	ピークセールス年	前回より変更の背景
ヘムライブラ	血友病A、 後天性血友病A	500億円超	テセントリク	肺がん、乳がん、肝細胞がん、 泌尿器がん、他	1,000億円超	~2030年	複数適応での申請時期 の見直し・開発中止
アレセンサ	NSCLC、 ALCL	300億円超	ポライビー	DLBCL、aNHL	500億円超		2031年以降 SKYGLO試験の追加
			バビースモ	nAMD、DME、RVO、AS	300億円超		2031年以降 開示方針の変更*2
エンズプリング	NMOSD、AIE、 MOGAD、TED	200億円超	フェスゴ	乳がん、大腸がん	200億円超	~2030年	開示方針の変更*2
			エブリスディ	脊髄性筋萎縮症	150億円超	~2030年	開示方針の変更*2
ピアスカイ	PNH、aHUS	100億円超	モスネツズマブ	FL、aNHL	200億円超		2031年以降 —
			glofitamab	LBCL	200億円超		2031年以降 —
GYM329	SMA	100億円未満	チラゴルマブ	NSCLC、食道がん	150億円超		2031年以降 開示方針の変更*2
			giredestrant	乳がん	100億円超		2031年以降 競合環境の変化
			ラニビズマブ (PDS)	nAMD、DME	100億円未満		2031年以降 —

*1 成功確率を考慮せず

*2 金額カテゴリの見直しに伴う変更

海外売上

<ロシュ導出品> ロシュの予想に基づく

- エンズプリング (NMOSD、AIE、MOGAD、TED) : 1bn+ CHF
- クロバリマブ (PNH、aHUS、SCD、LN) : 1bn+ CHF
- GYM329 (FSHD、SMA) : 1bn+ CHF

<第三者導出品>

- ネモリズマブ*3 (AD、PN) : 2bn+ USD

*3 ガルデルマ社の予想に基づく (成功確率は考慮せず)

今後の申請予定 (PoC取得済開発品・製品)

2024年4月24日現在

申請中		
アレセンサ (AF802/RG7853) NSCLC (アジア/オセアニア)(欧州)	モスネツズマブ ★ (RG7828) 3L 濾胞性リンパ腫	セルセプト ★ 全身性強皮症に伴う 間質性肺疾患
クロバリマブ (SKY59/RG6107) PNH (米国)	アレセンサ (AF802/RG7853) NSCLC (アジア/オセアニア)(日本)	エブリスディ ★ (RG7916) 未発症SMA
クロバリマブ (SKY59/RG6107) PNH (欧州)	アレセンサ (AF802/RG7853) NSCLC (アジア/オセアニア)(中国)	テセントリク ★ (RG7446) 胞巣状軟部肉腫

新規 適応拡大
 自社創製品 (グローバル開発) ■ □
 ロシュ導入品 (日本開発販売) ■ □
 ★ 新規追加 ☆ 申請年変更 *PoC取得前

アバスチン (RG435) 1L SCLC (テセントリク併用)	チラゴルマブ (RG6058) 1L NSCLC (テセントリク併用)	giredestrant (RG6171) 1L~3L 乳がん	バビースモ (RG7716) 網膜色素線条	vamikibart (RG6179) UME	ガザイバ (RG7159) 小児特発性ネフローゼ症候群	ガザイバ (RG7159) 腎症を伴わない 全身性エリテマトーデス
テセントリク+アバスチン (RG7446+RG435) 肝細胞がん(アジア/オセアニア)	エンズプリング (SA237/RG6168) 甲状腺眼症	チラゴルマブ+テセントリク (RG6058+RG7446) 食道がん ☆	テセントリク+アバスチン (RG7446+RG435) 肝細胞がん (intermediate ステージ)	giredestrant (RG6171) 1L 乳がん	ガザイバ (RG7159) ループス腎炎	glofitamab (RG6026) ★ 初発大細胞型B細胞リンパ腫 (ポライビー併用)
SRP-9001 (RG6356) DMD	エンズプリング (SA237/RG6168) 自己免疫介在性脳炎	チラゴルマブ+テセントリク (RG6058+RG7446) NSCLC (ステージ III)	テセントリク (RG7446) MIBC (アジア/オセアニア)	mosneszumab (RG7828) 2L 濾胞性リンパ腫	giredestrant (RG6171) 1L 乳がん(周術期)	giredestrant (RG6171) 乳がん (アジア/オセアニア)
			モスネツズマブ+ポライビー (RG7828+RG7596) r/r aNHL	チラゴルマブ+テセントリク (RG6058+RG7446) 1L NSQ NSCLC	テセントリク (RG7446) 乳がん(周術期)	チラゴルマブ (RG6058) 1L 肝細胞がん (テセントリク/アバスチン併用)
				クロバリマブ (SKY59/RG6107) aHUS ☆	ラニビズマブ(PDS) (RG6321) DME ☆	エンズプリング (SA237/RG6168) MOGAD
					ラニビズマブ(PDS) (RG6321) nAMD ☆	GYM329/RG6237 FSHD*
						GYM329/RG6237 脊髄性筋萎縮症* (エブリスディ併用)
						クロバリマブ (SKY59/RG6107) 鎌状赤血球症* (米国・欧州)

2024年

2025年

2026年

2027年以降

開発パイプライン (1/2)



2024年4月24日現在

	Phase I	Phase II	Phase III	Filed	
がん	LUNA18 - 固形がん	RG7421 / コレチニブ フマル酸塩 - 固形がん	RG6396 / プラセチニブ 水和物 - NSCLC (2L) - 固形がん	AF802 (RG7853) / アレクサ - NSCLC(ステージ III)CRT後維持療法	AF802 (RG7853) / アレクサ (欧/中/日) - NSCLC (アジュバント)
	GC33 / codrituzumab - 肝細胞がん	RG6026 / glofitamab - 血液がん		RG7446 / テセントリク - NSCLC (周術期) - 筋層浸潤性膀胱がん (アジュバント)	RG7446 / テセントリク - 胞巣状軟部肉腫★
	ERY974 - 固形がん	RG6194 / runimotamab - 固形がん		RG6058 / チラゴ ルマブ +RG7446 / テセントリク +RG435 / アバ スチン - 肝細胞がん (1L)	RG7828 / モスネツズ マブ - 濾胞性リンパ腫 (3L)★
	STA551 - 固形がん	RG6330 / divarasib - 固形がん		RG6171 / giredestrant - 乳がん (アジュバント) - 乳がん(1L) - 乳がん(1L~3L)	
	SOF10 (RG6440) - 固形がん	RG6433 / migoprotafib - 固形がん		RG7828 / モスネツズ マブ - 濾胞性リンパ腫 (2L)	
	SPYK04 - 固形がん	RG6160 / cevostamab - r/r MM		RG7446 / テセントリク +RG435 / アバ スチン - SCLC (1L) - 肝細胞がん (アジュバント) - 肝細胞がん (intermediate ステージ)	RG7828 / モスネツズ マブ +RG7596 / ホライビ - r/r aNHL
	ALPS12 (RG6524) - 固形がん	RG6139 / tobemstomig - 固形がん		RG6396 / プラセチニブ 水和物 - NSCLC (1L)	
	SAIL66 - CLDN6陽性固形がん			RG6026 / glofitamab +RG7596 / ホライビ - 初発大細胞型B細胞リンパ腫★	
	ROSE12 - 固形がん			RG6058 / チラゴ ルマブ +RG7446 / テセントリク - NSCLC (1L) - NSCLC (ステージ III) - NSQ NSCLC(1L) - 食道がん	

オレンジ：自社創製品（グローバル開発） ブルー：ロシュ導入品（日本開発販売）

★：2024年2月1日からの変更点

各相の臨床試験は、原則として投与の開始をもってパイプライン入りとしています。

開発パイプライン (2/2)



2024年4月24日現在

	Phase I	Phase II	Phase III	Filed	
免疫疾患	DONQ52 - セリアック病 RAY121 - 自己免疫疾患	SKY59 (RG6107)/ クロバ リマブ - ループス腎炎 RG6299 -IgA腎症★	RG7159 / ガザイバ - ループス腎炎 - 小児特発性ネフローゼ症候群 - 腎症を伴わないSLE	セルセプト -全身性強皮症に伴う 間質性肺疾患★	
神経疾患	RG7935 / prasinezumab - パーキンソン病 RG6102/trontinemab -アルツハイマー病 (PI/II)	GYM329 (RG6237) - 脊髄性筋萎縮症 (エブ リステイ併用) (PII/III) - FSHD RG6042 / トミネルセン - ハンチントン病	SA237 (RG6168) / エンスプリング - MOGAD - 自己免疫介在性脳炎	SRP-9001(RG6356) / delandistrogene moxeparovvec - デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD)*	RG7916 / エブ リステイ - 未発症SMA★
血液疾患	NXT007 (RG6512) - 血友病A (PI/II)	SKY59 (RG6107)/ クロバ リマブ (米/欧) - SCD	SKY59 (RG6107)/ クロバ リマブ - aHUS	SKY59 (RG6107)/ クロバ リマブ (欧/米) - PNH	
眼科	RG6321 / PDS - 加齢黄斑変性 (PI/II) - 糖尿病黄斑浮腫 (PI/II)		SA237 (RG6168) / エンスプリング - 甲状腺眼症 RG7716 / バビ -スモ - 網膜色素線条	RG6179 / vamikibart - 非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫(UME)	
その他	REVN24 - 急性疾患	AMY109 - 子宮内膜症			

オレンジ：自社創製品（グローバル開発） ブルー：ロシュ導入品（日本開発販売）

★：2024年2月1日からの変更点

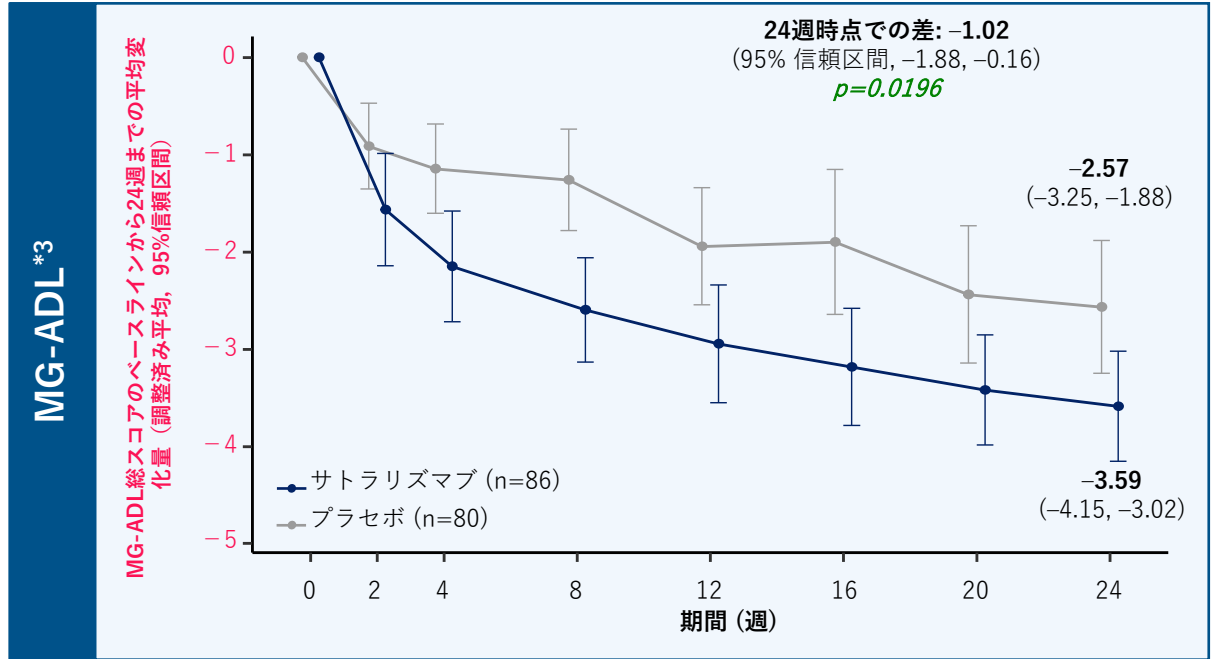
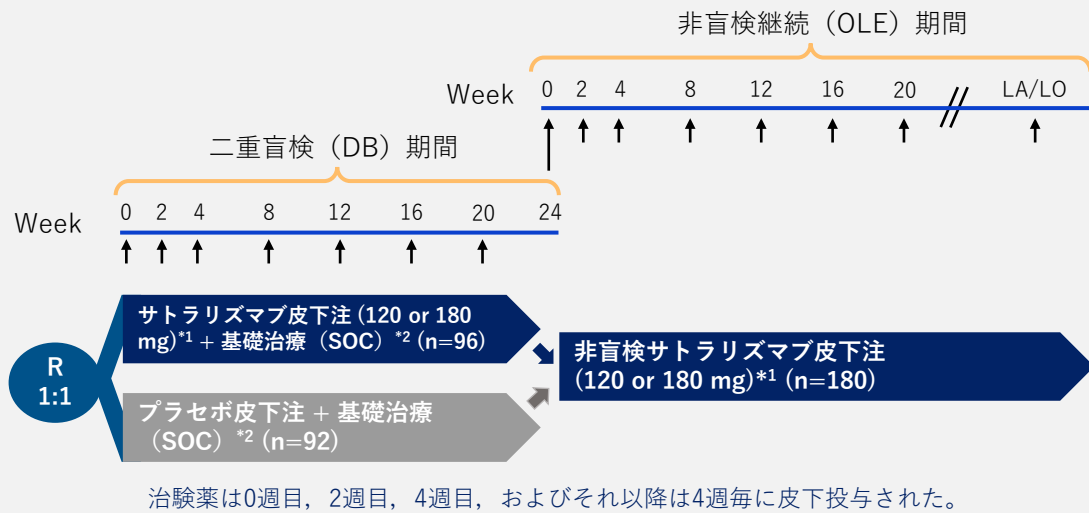
各相の臨床試験は、原則として投与の開始をもってパイプライン入りとしています。

*サレプタ社が日本を含むグローバルでの臨床試験を主導

エンズプリング：全身型重症筋無力症

第III相試験（LUMINESCE試験）：主要評価項目達成も、期待する有効性を下回る結果

188名の被験者のうち、96例がサトラリズマブ群、92例がプラセボ群にランダム化された



- LUMINESCE試験は、サトラリズマブ+標準治療を、プラセボ+標準治療と比較した試験であり、既存の非臨床及び臨床データに基づく重症筋無力症 (gMG) におけるIL-6阻害の有用性を検証した。アセチルコリン受容体抗体 (AChR-IgG) 陽性の集団におけるMG-ADL総スコア*4のベースラインから24週までの平均変化量について、統計学的に有意な改善を認めたが、その効果の大きさは小さく、種々のエンドポイントにおいてベネフィットの大きさは期待を下回るものであった。
- gMGにおけるサトラリズマブの安全性データは、NMOSDで確立されたデータと同様であり、新たな安全性の懸念は認められず、忍容性は良好であった。
- 本試験結果は、NMOSDにおけるサトラリズマブのベネフィット/リスクプロファイルには影響しない。また、MOGAD, AIE, TEDなど、IL-6シグナル阻害により有効性が期待できる他の稀な神経免疫疾患および自己免疫疾患の臨床試験でも、開発は引き続き継続される。

↑ 治験薬の投与, *1 体重100 kg以下の被験者にはサトラリズマブ120 mg, 体重100kg超の被験者には180mgの投与, *2 使用が許可されている基礎治療は、コリンエステラーゼ阻害剤単剤, もしくは、以下の治療 (コリンエステラーゼ阻害剤の併用可能): 経口副腎皮質ステロイド, 1種類のIST[アザチオプリン, ミコフェノール酸モフェチル, シクロスポリンA, タクロリムス], または, 1種類のIST+経口副腎皮質ステロイド, *3 特定の中間事象に対してプラセボ群のcopy referenceにて多重補完し, 層別因子により調整したMMRMにて解析, *4 MG-ADLは、疾患による症状と、症状が会話、咀嚼、嚥下、呼吸、歯磨きや整髪、椅子からの起立、複視、眼瞼下垂等を含む日常生活に与える影響を評価するスケール。

第三者導出プロジェクトの進展

2024年4月24日現在

一般名/開発コード	作用機序	導出先	導出先の権利範囲	予定適応症	開発ステージ	プロジェクトの状況
avutometinib /VS-6766	RAF/MEK 阻害剤	Verastem Oncology	全世界の製造・開発・販売の独占的実施権	再発のLGSOC	海外：第III相	<ul style="list-style-type: none"> ● 米国FDA BT指定（再発LGSOC、defactinibとの併用） ● 米国FDA オーファンドラッグ指定（再発LGSOC、defactinibとの併用）★ ● RAMP301 trial（P3）開始
				非小細胞肺がん	海外/米国：第I/II相	<ul style="list-style-type: none"> ● RAMP 203 trial（P1/2、KRAS G12C阻害薬 sotorasib（±defactinib）との併用）実施中（海外） ● 米国FDA ファーストトラック指定（sotorasibとの併用）★ ● RAMP 204 trial（P1/2、KRAS G12C阻害薬 adagrasibとの併用）実施中（米国）
				転移性PDAC*	米国：第I/II相	<ul style="list-style-type: none"> ● RAMP 205 trial（P1/2、ゲムシタピン・nab-パクリタキセルと併用）
ネモリズマブ	抗IL-31RA ヒト化モノクローナル抗体	Galderma	<Galderma> 日本、台湾を除く全世界の開発・販売の独占的実施権	アトピー性皮膚炎	海外：申請（米国・欧州）	<ul style="list-style-type: none"> ● 米国FDA、EMA申請受理★
				結節性痒疹	海外：申請（米国・欧州）	<ul style="list-style-type: none"> ● 米国FDA、EMA申請受理★
				慢性腎臓病に伴うそう痒	海外：第II/III相	<ul style="list-style-type: none"> ● 実施中

* プロジェクトの進捗により、新規追加

★：2024年2月1日からの変更点

第三者導出プロジェクトの進展

2024年4月24日現在

一般名/開発コード	作用機序	導出先	導出先の権利範囲	予定適応症	開発ステージ	プロジェクトの状況
orforglipron /LY3502970	非ペプチド型 経口GLP-1受 容体作動薬	Eli Lilly and Company	全世界の開発・販売権	2型糖尿病	海外：第III相	● P2試験：26週時点において、orforglipron投与群は、HbA1Cについて最大2.1%の低下と10.1kgの体重減少が認められた。 The Lancet*1に掲載
				肥満症	海外：第III相	
-/AP306 (EOS789) *3	経口リン酸輸 送体阻害剤	Alebund	全世界の製造・開発・販 売の独占的実施権	高リン血症	中国：第II相	● P2試験：投与終了時点において、AP306群は臨床的に意義のある血清中リン濃度の減少を示した

*1 Juan PF, et al. Efficacy and safety of oral orforglipron in patients with type 2 diabetes: a multicentre, randomised, dose-response, phase 2 study. *Lancet* 2023.

*2 Sean W, et al. Daily Oral GLP-1 Receptor Agonist Orforglipron for Adults with Obesity. *NEJM* 2023.

*3 プロジェクトの進捗により、新規追加

FoundationOne CDx がんゲノムプロファイル –コンパニオン診断機能の状況–

2024年4月24日現在

遺伝子変異等	がん種	関連する医薬品
活性型EGFR 遺伝子変異	非小細胞肺癌	アファチニブマレイン酸塩、エルロチニブ塩酸塩、ゲフィチニブ、オシメルチニブメシル酸塩、ダコミチニブ水和物
EGFR エクソン20 T790M変異		オシメルチニブメシル酸塩
ALK 融合遺伝子		アレクチニブ塩酸塩、クリゾチニブ、セリチニブ、ブリグチニブ
ROS1 融合遺伝子		エヌトレクチニブ
MET 遺伝子エクソン14スキッピング変異		カプマチニブ塩酸塩水和物
BRAFV600E及びV600K変異	悪性黒色腫	ダブラフェニブメシル酸塩、トラメチニブジメチルスルホキシド付加物、ベムラフェニブ、エンコラフェニブ、ビニメチニブ
ERBB2 コピー数異常 (HER2遺伝子増幅陽性)	乳癌	トラスツズマブ (遺伝子組換え)
AKT1遺伝子変異		カピバセルチブ
PIK3CA遺伝子変異		
PTEN遺伝子変異		
KRAS/NRAS 野生型	結腸・直腸癌	セツキシマブ (遺伝子組換え)、パニツムマブ (遺伝子組換え)
高頻度マイクロサテライト不安定性		ニボルマブ (遺伝子組換え)
高頻度マイクロサテライト不安定性	固形癌	ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)
腫瘍遺伝子変異量高スコア		ペムブロリズマブ (遺伝子組換え)
NTRK1/2/3 融合遺伝子		エヌトレクチニブ、ラロトレクチニブ硫酸塩
RET 融合遺伝子		セルペルカチニブ
BRCA1/2 遺伝子変異	卵巣癌	オラパリブ
BRCA1/2 遺伝子変異	前立腺癌	オラパリブ、タラゾパリブトシル酸塩
FGFR2 融合遺伝子	胆道癌	ペミガチニブ

FoundationOne Liquid CDx がんゲノムプロファイル

ーコンパニオン診断機能の状況ー

2024年4月24日現在

遺伝子変異等	がん種	関連する医薬品
活性型 <i>EGFR</i> 遺伝子変異	非小細胞肺癌	アファチニブマレイン酸塩、エルロチニブ塩酸塩、ゲフィチニブ、オシメルチニブメシル酸塩
<i>EGFR</i> エクソン20 T790M変異		オシメルチニブメシル酸塩
<i>ALK</i> 融合遺伝子		アレクチニブ塩酸塩、クリゾチニブ、セリチニブ
<i>ROS1</i> 融合遺伝子		エヌトレクチニブ
<i>MET</i> 遺伝子エクソン14スキッピング変異		カプマチニブ塩酸塩水和物
<i>NTRK1/2/3</i> 融合遺伝子	固形がん	エヌトレクチニブ
<i>BRCA1/2</i> 遺伝子変異	前立腺癌	オラパリブ

今後のイベント予定

- 「ピアスカイ」製品説明会（6月27日 13時～14時30分）

略語一覧

AD	アトピー性皮膚炎	nAMD	中心窩下脈絡膜新生血管を伴う加齢黄斑変性
aHUS	非典型溶血性尿毒症症候群	NMOSD	視神経脊髄炎スペクトラム障害
AIE	自己免疫介在性脳炎	NSCLC	非小細胞肺癌
AS	網膜色素線条	NSQ	非扁平上皮
BS	バイオシミラー	PDAC	膵管腺がん
CRT	化学放射線療法	PE	主要評価項目
DLBCL	びまん性大細胞型B細胞リンパ腫	PN	結節性痒疹
DMD	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	PNH	発作性夜間ヘモグロビン尿症
DME	糖尿病黄斑浮腫	PoC	Proof of Concept
FL	濾胞性リンパ腫	r/r aNHL	再発または難治性のアグレッシブB細胞性非ホジキンリンパ腫
FSHD	顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー	r/r MM	再発または難治性の多発性骨髄腫
gMG	全身型重症筋無力症	RVO	網膜静脈閉塞症
LBCL	大細胞型B細胞リンパ腫	SCD	鎌状赤血球症
LGSOC	低悪性度漿液性卵巣がん	SCLC	小細胞肺癌
LN	ループス腎炎	SLE	全身性エリテマトーデス
MIBC	筋層浸潤性膀胱がん	SMA	脊髄性筋萎縮症
MOA	作用機序	TED	甲状腺眼症
MOGAD	抗ミエリンオリゴデンドロサイト糖タンパク質抗体関連疾患	UME	ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫