

# 1Qトピックス (1/2)

2025年4月24日現在

発売	ルンスミオ	過去に少なくとも2つの標準治療を受けたことのある再発又は難治性の濾胞性リンパ腫	2025年3月 (日本)
承認	NEMLUVIO® (ネモリズマブ)*	中等症から重症のアトピー性皮膚炎および結節性痒疹	2025年2月 (欧州)
	テセントリク	胞巣状軟部肉腫	2025年2月 (日本)
	バビースモ	剤形追加 (プレフィルドシリンジ)	2025年3月 (日本)
	エブリスディ	剤形追加 (錠剤)	2025年3月 (日本)
申請	セルセプト	難治性のネフローゼ症候群 (公知申請)	2025年3月 (日本)
試験開始	RAY121	—	第I相 (2025年3月)
	エンズプリング	デュシェンヌ型筋ジストロフィー	第II相 (2025年4月)
	MINT91	固形がん	第I相 (2025年4月)
	抗TL1A抗体/RG6631	潰瘍性大腸炎	第III相 (2025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社が実施

## 1Qトピックス (2/2)

2025年4月24日現在

Readout	orforglipron*	第III相ACHIEVE-1試験（2型糖尿病）：主要評価項目達成	2025年4月
	ルンスミオ	第III相SUNMO試験（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）：主要評価項目達成	2025年4月
PoC確認	NXT007	血友病A	2025年2月
パイプライン除外	アバスチン	小細胞肺癌（一次治療、BEAT-SC試験）：開発中止	
学会発表	バビースモ	網膜色素線条を対象とした国内第III相NIHONBASHI試験のデータ	2025年4月
	trontinemab	アルツハイマー病を対象とした第Ib/IIa相Brainshuttle™ AD試験のデータ	2025年4月
希少疾病用 医薬品指定	テセントリク	切除不能な胸腺がん	2025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） PoC：Proof of Concept \*導出先のEli Lilly and Companyが実施

# 2025年 主要なR&Dイベント

2025年4月24日現在

	開発品（製品）名	予定適応症 / 試験名	進捗状況
承認 予定期目	delandistrogene moxeparvovec	デュシェンヌ型筋ジストロフィー（歩行可能）	
	バビースモ	網膜色素線条	
P3/ピボタル試験 Readout	ピアスカイ	COMMUTE-a試験*：非典型溶血性尿毒症症候群（aHUS）	
	ルンスミオ+ポライビー	SUNMO試験： 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	主要評価項目達成
	ルンスミオ	CELESTIMO試験：濾胞性リンパ腫（二次治療）	
	ギレデストラント酒石酸塩	persevERA試験：ホルモン陽性乳がん（一次治療）	
	vamikibart	SANDCAT試験：非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫（UME）	
	ガザイバ	INShore試験：小児突発性ネフローゼ症候群	
P2試験 Readout	GYM329+エブリスディ	MANATEE試験：脊髄性筋萎縮症（SMA）	
	GYM329	MANOEUVRE試験：顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー（FSHD）	
	NXT007	血友病A	PoC確認／ P3移行を決定**
P1/2試験 Readout	trontinemab	Brainshuttle™ AD試験：アルツハイマー病	P3移行を決定
試験開始	GYM329	肥満症（P2試験）	

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）

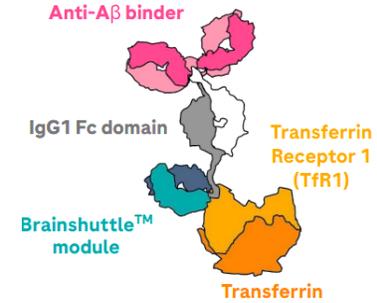
\*成人および青年患者を対象

下線：2025年1月30日からの変更点

\*\*3本のP3試験を2026年に開始予定（第VIII因子製剤との比較、ヘムライブラとの比較、小児を対象）

# Trontinemab：アルツハイマー病対象グローバルP1b/2a試験

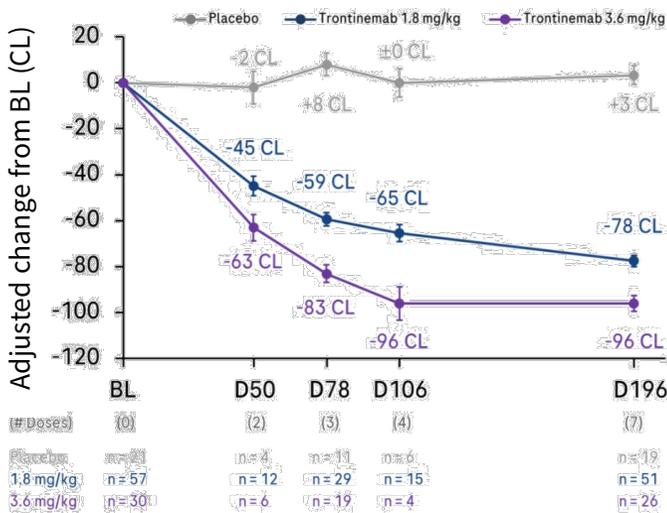
- アミロイドβを標的とする新規の Brainshuttle™\* バイスペシフィック 2+1 モノクローナル抗体であり、通常抗体よりも広範囲で速く大きな脳内アミロイドβ量の低減、及び良好な安全性プロファイルを確認



## 薬力学 (アミロイドPET)

- 1.8 mg/kgと3.6 mg/kgで用量依存的かつ広範囲で速く大きな脳内アミロイド量の低減を確認
- 3.6 mg/kgではWeek28時点で21/26例 (81%) が脳内アミロイド陰性化 (24センチロイド以下) を達成

脳内アミロイド量のBLからの変化



脳内アミロイド量が陰性 (24CL以下) となった被験者数及び割合

Participants ≤24 CL (%)	1.8 mg/kg (Part 1+2)	3.6 mg/kg (Part 1+2)
BL	0/61 (0%)	0/31 (0%)
D50	1/12 (8%)	1/6 (17%)
D78	12/29 (41%)	11/19 (58%)
D106	4/15 (27%)	4/4 (100%)
D196	33/51 (65%)	21/26 (81%)

## 安全性<sup>1</sup>

- 良好な安全性と忍容性プロファイルを確認
- アミロイド関連画像異常 (ARIA) の発現件数は少ない
- 軽度かつ一時的な貧血と管理可能な注入に伴う反応 (Infusion related reaction) を確認

Total number of participants with event (%)	PART 1 + 2 (COMBINED) (n = 114)	
	Cohort 3 1.8 mg/kg or Pbo (n = 76)	Cohort 4 3.6 mg/kg or Pbo (n = 38)
<b>ARIA-E</b>	3 (3.9%)	0
<b>ARIA-H</b>	5 (6.6%)	1 (2.6%)
Microhemorrhage	2 (2.6%)	1 (2.6%)
Superficial siderosis	3 (3.9%)	0
<b>Concurrent ARIA-E + ARIA-H</b>	0	0

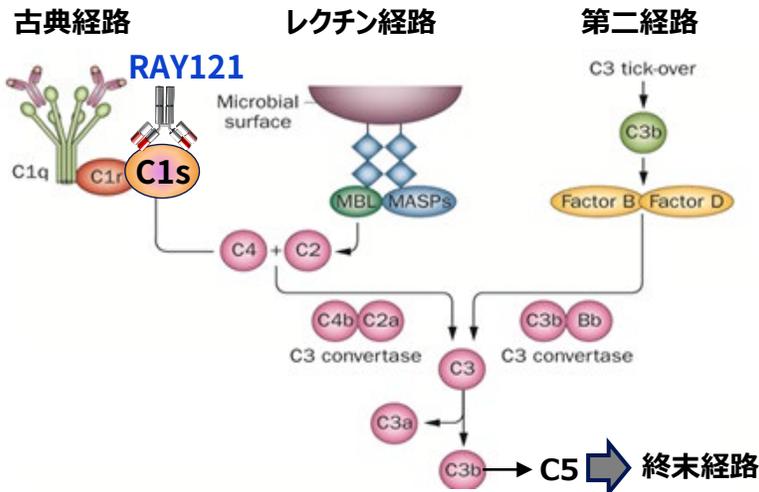
1：進行中の試験のため、個々の治療割り付けは盲検を維持 (実薬対プラセボ比4:1でランダム化)。盲検解除を避けるため、それぞれの投与コホートごとに実薬又はプラセボを投与された参加者をまとめて提示  
 AD/PD：国際アルツハイマー病・パーキンソン病学会、BL：ベースライン、CL：センチロイド (単位)、D：日、Part1:Dose escalation part、Part2：Dose expansion part  
 出典：AD/PD(April 1-5)発表資料 (Kulic L, et al.)

\*抗トランスフェリン受容体1結合Fab断片と抗アミロイド結合モノクローナル抗体を組み合わせたもの

# RAY121: 抗補体C1sリサイクリング抗体

## プロダクトコンセプト

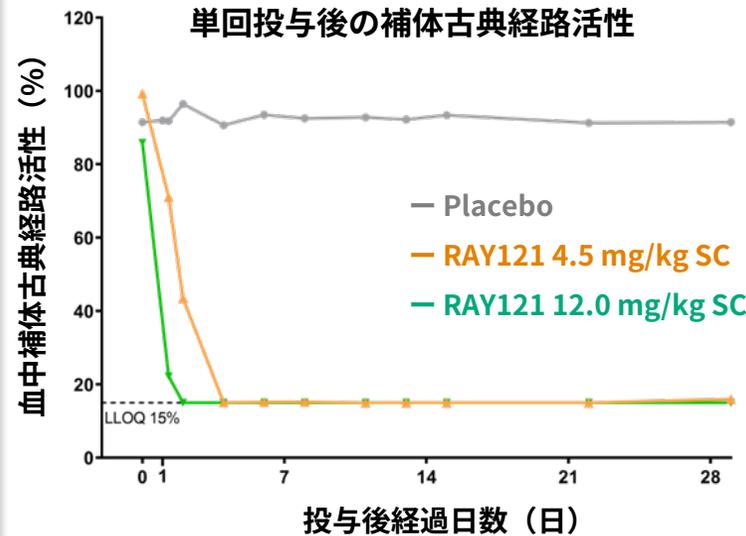
- 補体C1s選択的に結合し、補体古典経路を低用量で長期間持続的に阻害
- 古典経路の寄与が主流な疾患において、下流経路阻害 (C3/C5) よりも優れたリスクベネフィットバランスを期待
- 複数疾患の同時開発による価値最大化を企図



Source: Nature Reviews Nephrology 8, 622-633, 2012

## 健康成人P1a試験結果

- 持続的な補体古典経路抑制作用と良好な安全性プロファイルを確認 (血中半減期はおよそ41日)
- 高い利便性を提供するため、オートインジェクターを用いた自己投与可能な月1回の皮下注射を目指す



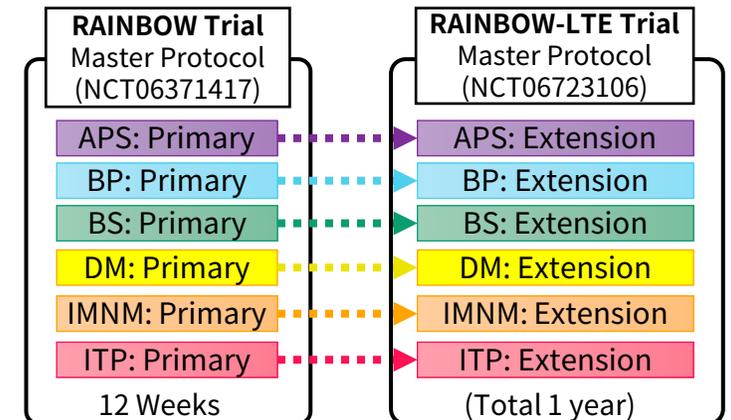
SC: subcutaneous, LLOQ: lower limit of quantitation  
Arthritis Rheumatol. 2024; 76 (suppl 9). Abstract No.: 0298

## 6種の自己免疫疾患に対するP1bバスケット試験

- RAY121の安全性、PK/PD、初期有効性評価を企図し、日欧米で症例登録進行中 (RAINBOW Trial)
- 続くRAINBOW-LTE試験にて、継続治療の機会を提供するとともに、長期投与時の安全性・有効性を評価



APS: 抗リン脂質抗体症候群  
BP: 類天疱瘡  
BS: ベーチェット病  
DM: 皮膚筋炎  
IMNM: 免疫介在性壊死性ミオパチー  
ITP: 免疫性血小板減少症



Only responders to rollover

# 今後の申請予定 (PoC取得済開発品・製品)

2025年4月24日現在

## 申請中

<b>テセントリク (RG7446)</b> 再発または難治性の節外性NK/T細胞リンパ腫・鼻型	<b>セルセプト ★</b> 難治性のネフローゼ症候群
<b>delandistrogene moxeparovec (RG6356)</b> DMD(歩行可能)	<b>バビースモ (RG7716)</b> 網膜色素線条

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

<b>vamikibart (RG6179) UME</b>		<b>ガザイバ (RG7159)</b> 小児特発性ネフローゼ症候群		<b>ガザイバ (RG7159)</b> 腎症を伴わない全身性エリテマトーデス	
<b>ギレドストラント酒石酸塩 (RG6171)</b> 1L-3L 乳がん ★	<b>ガザイバ (RG7159)</b> ループス腎炎	<b>delandistrogene moxeparovec (RG6356)</b> DMD(歩行不能) ★	<b>ピアスカイ (SKY59/RG6107)</b> 鎌状赤血球症* (グローバル (日本除く))		
<b>ギレドストラント酒石酸塩 (RG6171)</b> 1L 乳がん	<b>ルンスミオ (RG7828)</b> 2L 濾胞性リンパ腫	<b>抗TL1A抗体 (RG6631)</b> 潰瘍性大腸炎 ★	<b>エンズプリング (SA237/RG6168)</b> DMD* ★		
<b>セラゴルマブ (RG6058)</b> 1L 肝細胞がん (テセントリク/アバスタチン併用) ★	<b>テセントリク (RG7446)</b> NSCLC (周術期)	<b>divarasib (RG6330)</b> 2L NSCLC	<b>NXT007/RG6512</b> 血友病A	<b>ルンスミオ (RG7828)</b> 未治療の濾胞性リンパ腫	
<b>ルンスミオ+ポライビー (RG7828+RG7596) r/r aNHL</b>	<b>エンズプリング (SA237/RG6168)</b> 甲状腺眼症	<b>ランビズマブ (PDS) (RG6321)</b> DME	<b>ギレドストラント酒石酸塩 (RG6171)</b> 乳がん (アジュバント)	<b>GYM329/RG6237</b> FSHD*	<b>sefaxersen (RG6299)</b> IgA腎症
<b>セラゴルマブ+テセントリク (RG6058+RG7446)</b> 食道がん	<b>ピアスカイ (SKY59/RG6107)</b> aHUS	<b>ランビズマブ (PDS) (RG6321)</b> nAMD	<b>エンズプリング (SA237/RG6168)</b> 自己免疫介在性脳炎 ★	<b>GYM329/RG6237</b> 脊髄性筋萎縮症* (エプリスディ併用)	<b>glofitamab (RG6026)</b> 初発大細胞型B細胞リンパ腫 (ポライビー併用)
<b>セラゴルマブ+テセントリク (RG6058+RG7446)</b> NSCLC (ステージ III)	<b>エンズプリング (SA237/RG6168)</b> MOGAD ★				

2025年

2026年

2027年

2028年以降

# 開発パイプライン (1/2)

2025年4月24日現在

	Phase I	Phase II	Phase III	Filed	
がん	<p><b>LUNA18 / paluratide</b> - 固形がん</p> <p><b>GC33 / codrituzumab</b> - 肝細胞がん</p> <p><b>STA551</b> - 固形がん</p> <p><b>SOF10 (RG6440)</b> - 固形がん</p> <p><b>ALPS12</b> - 固形がん</p> <p><b>SAIL66</b> - CLDN6陽性固形がん</p> <p><b>ROSE12</b> - 固形がん</p> <p><b>MINT91</b> - 固形がん ★</p>	<p><b>RG7421 / コビメチン フマル酸塩</b> - 固形がん</p> <p><b>RG6026 / glofitamab</b> - 血液がん</p> <p><b>RG6160 / cevostamab</b> - r/r MM</p>	<p><b>AF802 (RG7853) / アレセンサ</b> - NSCLC(ステージ III)CRT後維持療法</p> <p><b>RG7446 / テセントリク</b> - NSCLC (周術期) - 筋層浸潤性膀胱がん (アジュバント) - 肝細胞がん (2L)</p> <p><b>RG7446 / テセントリク +RG435 / アバスチン</b> - 肝細胞がん (intermediate ステージ)</p> <p><b>RG6058 / チラゴルマブ +RG7446 / テセントリク</b> - NSCLC (ステージ III) - 食道がん</p> <p><b>RG6058 / チラゴルマブ+RG7446 / テセントリク+RG435 / アバスチン</b> - 肝細胞がん (1L)</p>	<p><b>RG6171 / ギレド スタート酒石酸塩</b> - 乳がん (アジュバント) - 乳がん(1L) - 乳がん(1L~3L)</p> <p><b>RG7828 / ルンスミオ</b> - 濾胞性リンパ腫 (2L) - 未治療の濾胞性リンパ腫</p> <p><b>RG7828 / ルンスミオ +RG7596 / ポライビー</b> - r/r aNHL</p> <p><b>RG6026 / glofitamab +RG7596 / ポライビー</b> - 初発大細胞型B細胞リンパ腫</p> <p><b>RG6330 / divarasib</b> - NSCLC (2L)</p>	<p><b>RG7446 / テセントリク</b> - 再発または難治性の節外性NK/T細胞リンパ腫・鼻型</p>
免疫疾患	<p><b>DONQ52</b> - セリアック病</p> <p><b>RAY121</b> - 自己免疫疾患</p>		<p><b>RG7159 / ガザイバ</b> - 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</p>	<p><b>RG6299 / sefaxersen</b> - IgA腎症</p> <p><b>RG6631 (抗TL1A抗体)</b> - 潰瘍性大腸炎 ★</p>	<p><b>セルセプト</b> - 難治性のネフローゼ症候群 ★</p>

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）    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。

★：2025年1月30日からの変更点    aNHL：アグレッシブB細胞性非ホジキンリンパ腫、MM：多発性骨髄腫、NSCLC：非小細胞肺がん、r/r：再発または難治性、SLE：全身性エリテマトーデス、CRT: 化学放射線療法

# 開発パイプライン (2/2)

2025年4月24日現在

	Phase I	Phase II	Phase III	Filed	
神経疾患	<p><b>RG7935 / prasinezumab</b> - パーキンソン病</p> <p><b>RG6102/trontinemab</b> - アルツハイマー病 (PI/II)</p>	<p><b>GYM329 (RG6237)</b> - 脊髄性筋萎縮症 (エブリスディ併用) (PII/III) - FSHD</p> <p><b>SA237 (RG6168) / エンスプリング</b> - デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD) ★</p> <p><b>RG6042 / トミネルセン</b> - ハンチントン病</p>	<p><b>SA237 (RG6168) / エンスプリング</b> - MOGAD - 自己免疫介在性脳炎</p>	<p><b>RG6356 / delandistrogene moxeparvovec</b> - デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD、歩行不能)*</p>	<p><b>RG6356 / delandistrogene moxeparvovec</b> - デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD、歩行可能)*</p>
血液疾患		<p><b>SKY59 (RG6107)/ ピアスカイ</b>(グローバル(日本除く)) - SCD</p> <p><b>NXT007 (RG6512)</b> - 血友病A (PI/II)</p>	<p><b>SKY59 (RG6107)/ ピアスカイ</b> - aHUS</p>		
眼科	<p><b>RG6321 / PDS</b> - 加齢黄斑変性 (PI/II) - 糖尿病黄斑浮腫 (PI/II)</p>		<p><b>SA237 (RG6168) / エンスプリング</b> - 甲状腺眼症</p>	<p><b>RG6179 / vamikibart</b> - 非感染性ぶどう膜炎に伴う黄斑浮腫(UME)</p>	<p><b>RG7716 / バビースモ</b> - 網膜色素線条</p>
その他	<p><b>REVN24</b> - 急性疾患</p> <p><b>GYM329 (RG6237)</b> - 肥満症</p> <p><b>BRY10</b> - 慢性疾患</p>	<p><b>RAY121 ★</b> - (非開示)</p> <p><b>RG6615 / zilebesiran</b> - 高血圧 (PI/II)</p>	<p><b>AMY109</b> - 子宮内膜症</p>		

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）

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。

★：2025年1月30日からの変更点

\*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

FSHD：顔面肩甲骨型筋ジストロフィー、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、SCD：鎌状赤血球症、aHUS：非典型溶血性尿毒症症候群

# 第三者導出プロジェクトの進展 (1/2)

2025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 clamp (遮断)	Verastem Oncology	全世界の製造・ 開発・販売の独 占的实施権	KRAS変異陽性の 再発低悪性度 漿液性卵巣がん (LGSOC)	海外：第III相  米国：申請中	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 米国FDA BT指定 (再発LGSOC、defactinibとの併用)</li> <li>● 米国FDA オーフアンドラッグ指定 (再発LGSOC、defactinibとの併用)</li> <li>● RAMP301 trial (P3) グローバルで実施中</li> <li>● 迅速承認を求めた新薬承認申請 (NDA) につき、24年12月に米国FDAが受理(一回以上の全身療法による治療歴があるKRAS変異陽性の再発LGSOC、defactinibとの併用)</li> <li>● 上記申請は、優先審査の対象に指定され、処方せん薬ユーザーフィー法 (PDUFA) に基づく審査終了の目標期日が2025年6月30日に設定</li> </ul>
					日本：第II相	● RAMP201J trial(P2、defactinibとの併用)開始
				KRAS G12C変異陽性の進行非小細胞肺がん (NSCLC)	海外/米国：第I/II相	<ul style="list-style-type: none"> <li>● RAMP 203 trial (P1/2、KRAS G12C阻害薬 (sotorasib±defactinib)との併用) 実施中 (海外)</li> <li>● 米国FDAファストトラック指定 (sotorasibとの併用)</li> <li>● 米国FDAファストトラック指定 (defactinib、sotorasibとの併用)</li> </ul>
				転移性膵管腺がん (一次治療) (mPDAC)	米国：第I/II相	● RAMP 205 trial (P1/2、ゲムシタビン・ nab-パクリタキセルおよびdefactinibとの併用)

# 第三者導出プロジェクトの進展 (2/2)

2025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
ネモリズマブ	抗IL-31RA ヒト化モノクローナル抗体	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：承認 (欧州) ★	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 24年2月に米国FDA、EMA申請受理</li> <li>● 24年12月に承認取得 (米国)</li> <li>● 25年2月に承認取得 (欧州)★</li> </ul>
				結節性痒疹	海外：承認 (欧州) ★	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 24年2月に米国FDA、EMA申請受理 (結節性痒疹はFDAによりPriority Review指定)</li> <li>● 24年8月に承認取得 (米国)</li> <li>● 25年2月に承認取得 (欧州)★</li> </ul>
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	第III相	<ul style="list-style-type: none"> <li>● P3試験 (ACHIEVE-1) : 40週時点において、orforglipron投与群は、HbA1Cについて平均1.3~1.6%の低下と最高用量で7.9%の体重減少が認められた。安全性プロファイルは注射型GLP-1製剤と同様であった★</li> </ul>
				肥満症	第III相	<ul style="list-style-type: none"> <li>● P2試験：36週時点において、orforglipron投与群は、最大14.7%の体重減少を示した。NEJM*に掲載</li> </ul>
				睡眠時無呼吸症候群★	第III相	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 24年4Q開始★</li> </ul>
-/AP306 (EOS789)	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	<ul style="list-style-type: none"> <li>● P2試験：投与終了時点において、AP306群はベースラインに比し臨床的に意義のある血清中リン濃度の減少を示した</li> <li>● 中国において、慢性腎臓病患者における高リン血症に対する治療薬として、Breakthrough Therapy指定</li> </ul>

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

# 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—

2025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、レポトレクチニブ
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	オラバリブ、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

下線：現在申請中のコンパニオン診断機能および対応薬剤

# FoundationOne Liquid 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—

2025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	固形癌	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