

2024年12月期 第3四半期 決算説明資料

協和キリン株式会社

 **KYOWA KIRIN**

アジェンダ

財務レビュー

常務執行役員 Chief Financial Officer (CFO) **川口元彦**

コマーシャルアップデート

常務執行役員 Chief Strategy Officer (CSO) **藤井泰男**

R&Dアップデート

取締役専務執行役員 Chief Medical Officer (CMO) **山下武美**

2024年のニュース

常務執行役員 Chief Strategy Officer (CSO) **藤井泰男**

Q&A

取締役専務執行役員 Chief Medical Officer (CMO) **山下武美**

常務執行役員 Chief Financial Officer (CFO) **川口元彦**

常務執行役員 Chief Strategy Officer (CSO) **藤井泰男**

本資料には、当社（国内外の連結子会社を含む）の見通し、目標、計画など、将来に関する記述が含まれています。これら将来に関する記述は、当社が現時点において入手している情報や予測をもとになされた当社の合理的な判断に基づくものですが、実質的にこれら記述とは大きく異なる結果を招く不確実性を含んでいます。

これら不確実性には、国内外製薬業界の事業活動に潜在するリスク、知的財産権にかかるリスク、副作用に関するリスク、法的規制リスク、製品の欠陥等の発生リスク、原燃料価格の変動リスク、製品市況価格の変動リスク、為替・金融市場の変動リスクなどが含まれますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は、投資家の皆様に向けて情報を提供することを目的としたものであり、内容には医薬品（開発中の製品を含む）に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告や医学的アドバイスを目的としているものではありません。

財務レビュー

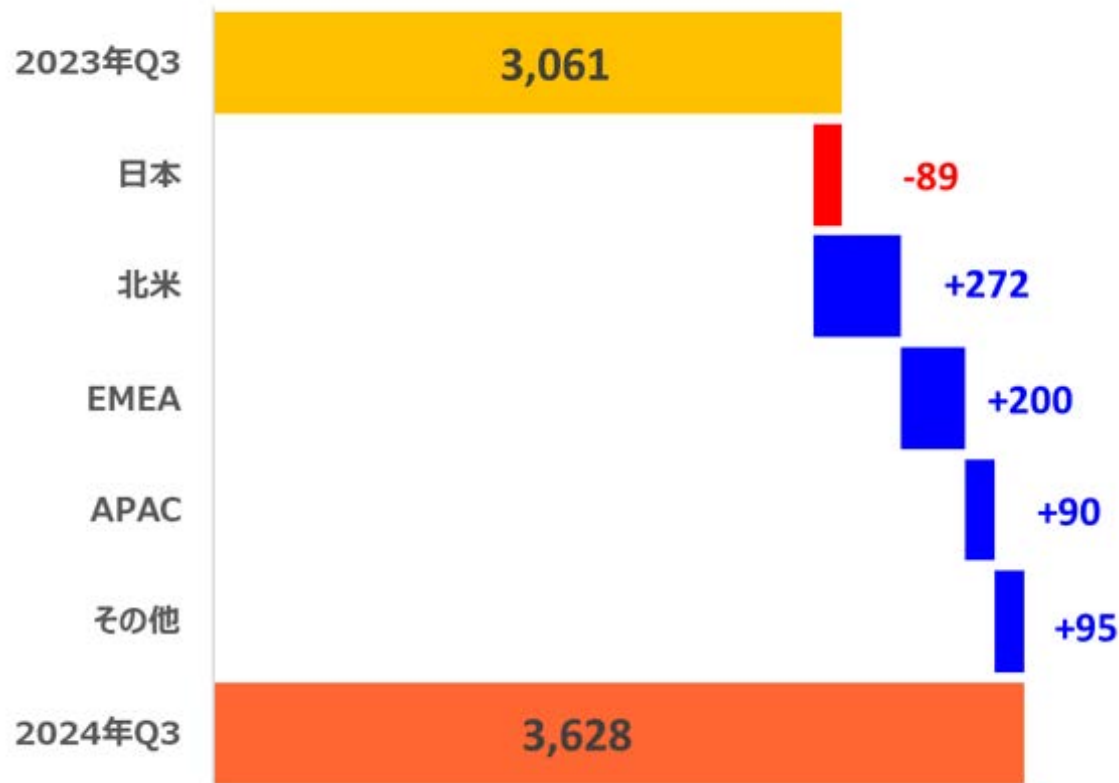
Q3業績サマリー

(単位は億円、単位未満四捨五入)

	2023年 Q3実績	2024年 Q3実績	増減	2024年 修正予想	進捗率
売上収益 [海外売上比率]	3,061 [64%]	3,628 [72%]	+567 (+19%)	4,920 [71%]	74%
売上総利益 [売上総利益率]	2,291 [75%]	2,688 [74%]	+397 (+17%)	3,640 [74%]	74%
販売費及び一般管理費 [販管費率]	1,193 [39%]	1,236 [34%]	+43 (+4%)	1,680 [34%]	74%
研究開発費 [研究開発費率]	512 [17%]	743 [20%]	+231 (+45%)	1,050 [21%]	71%
持分法投資損益	23	35	+12 (+55%)	10	353%
コア営業利益 [コア営業利益率]	609 [20%]	744 [21%]	+135 (+22%)	920 [19%]	81%
当期利益/四半期利益	536	559	+23 (+4%)	680	82%

対前年分析 ～売上収益～

**売上収益 +567億円
(うち為替 +233億円)**



● **日本 -89億円**

フォゼベル・ダーブロック・クリスビータなどが伸長したものの、薬価改定影響に加え、競合品の影響を受けたジースタの減収により、日本リージョンは8%の減収。

● **北米 +272億円 (うち為替 +118億円)**

Crysvita(+24%)・Poteligeo(+44%)がそれぞれ売上を伸ばし、北米リージョンは29%の増収。

● **EMEA +200億円 (うち為替 +65億円)**

Crysvita(+52%)・Poteligeo(+24%)がそれぞれ売上を伸ばすとともに、Grünenthal社との合併会社で販売しているエスタブリッシュト医薬品13ブランドのうちの3ブランドについて、合併会社へライセンス譲渡(131億円)を行ったため、EMEAリージョンは44%の増収。

● **APAC +90億円 (うち為替 +21億円)**

Crysvita・Nespなどが売上を伸ばしていることに加え、事業再編のパートナーであるDKSH社へのエスタブリッシュト医薬品のKR/TW在庫一括譲渡(54億円)が9月末に発生し、APACリージョンは35%の増収。

● **その他 +95億円 (うち為替 +29億円)**

ファセンラ(ベンラリズマブ)売上ロイヤルティの増加やベーリンガーインゲルハイム社とのライセンス契約に係る契約一時金収入に加え、Orchardの新規連結により、その他は28%の増収。

日本の主要アイテム売上収益

(単位は億円、単位未満四捨五入)

製品名など	2023年 Q3実績	2024年 Q3実績	前年比	増減要因	2024年 修正予想*	進捗率
クリースビータ	74	82	+8 (+11%)	市場浸透(2019.12発売)	129	63%
ポテリジオ	14	14	-1 (-4%)		19	72%
ネスプ+ネスプAG ¹	127	104	-22 (-17%)		144	72%
ネスプ	23	20	-3 (-14%)	薬価改定・競合品影響	28	72%
ネスプAG	103	85	-19 (-18%)		117	72%
ダーブロック	69	89	+21 (+30%)	市場浸透(2020.8発売)	122	73%
フォゼベル	-	29	+29 (- %)	2024.2発売	33	88%
オルケディア	76	75	-1 (-1%)		117	64%
ジーラスタ	232	153	-79 (-34%)	薬価改定・競合品影響	205	74%
リツキシマブBS	67	57	-10 (-15%)	薬価改定	79	72%
ロミプレート	87	99	+12 (+14%)	市場浸透(2019.6適応拡大)	132	76%
ノウリアスト	55	51	-5 (-9%)		71	71%
ハルロピ	32	33	+1 (+3%)		52	64%

1 正式名はダレバポエチナルファ注シリンジ「KKF」。製造販売元は協和キリンフロンティア株式会社、販売元は協和キリン株式会社。

* 2024年8月1日に発表した業績予想の修正において、「日本の主要アイテム売上収益」の予想に変更はありません。

海外の主要アイテム売上収益

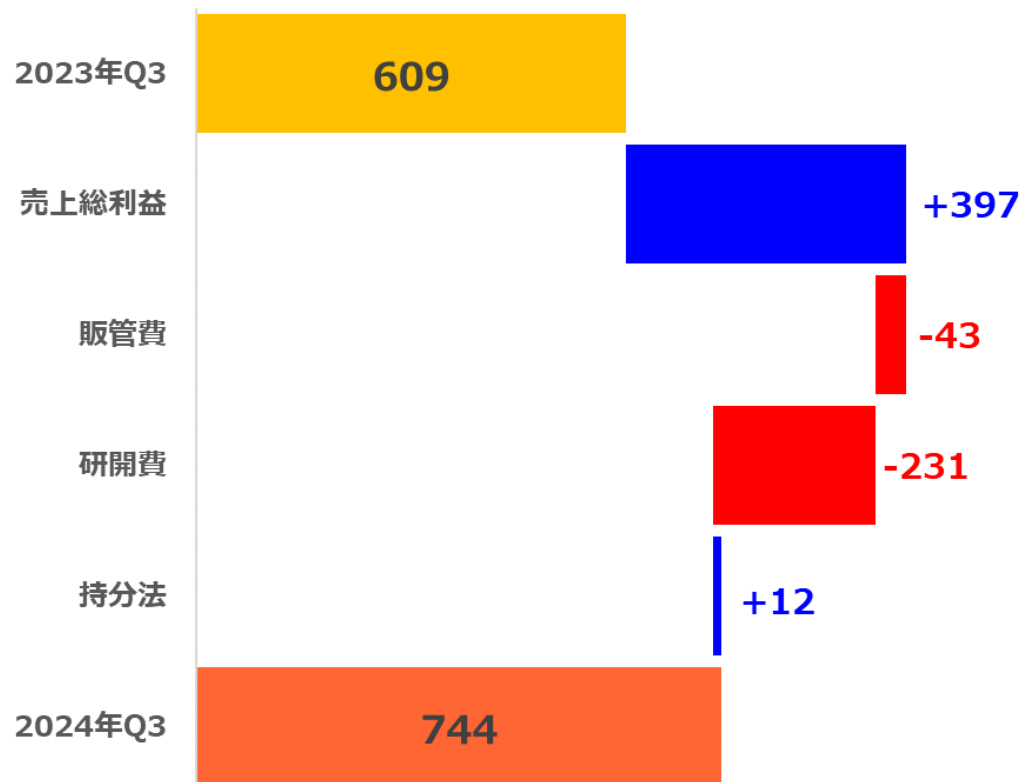
(単位は億円、単位未満四捨五入)

製品名など	2023年 Q3実績	2024年 Q3実績	前年比	増減要因	2024年 修正予想	進捗率
Crysvita	957	1,267	+310 (+32%)	市場浸透	1,878	67%
北米	702	872	+171 (+24%)			
EMEA	245	371	+127 (+52%)			
APAC	11	23	+12 (+117%)			
Poteligeo	199	277	+78 (+39%)	市場浸透	348	80%
北米	151	216	+66 (+44%)			
EMEA	48	60	+11 (+24%)			
APAC	0	1	+1 (- %)			
Libmeldy / Lenmeldy	-	22	+22 (- %)	Orchard新規連結 (2024.3 米国FDA承認)	49	44%
Nourianz	55	62	+7 (+12%)		91	68%
Nesp	70	88	+18 (+25%)		107	82%
Gran	52	54	+3 (+5%)		72	76%
技術収入	293	337	+44 (+15%)	ベーリンガーインゲルハイム導出一時金、 ファセンラ伸長	478	71%
ベンタリズマブ ロイヤルティ ¹	191	216	+24 (+13%)			

1 AstraZenecaが販売するファセンラの売上ロイヤルティ(当社独自の見積もりを含む)

対前年分析 ～コア営業利益～

**コア営業利益 +135億円
(うち為替 +84億円)**



- **売上総利益 +397億円 (うち為替 +203億円)**

売上収益増加(+567億円)に伴い増益。北米でのCrysvita自社販売を開始した2023年4月27日以降計上している販売ロイヤルティの影響により売上原価が増加したため、売上総利益率は前年同期を下回った(75%→74%)。

- **販売費及び一般管理費 -43億円 (うち為替 -72億円)**

北米でのCrysvita自社販売を開始した2023年4月27日以降のプロフィットシェア費用計上がなくなった影響があったが、人件費等に加えてOrchardの新規連結および為替影響により増加。
[人件費 -79、販売促進費 +96 (Crysvita北米プロフィットシェア費用 +109) など]

- **研究開発費 -231億円 (うち為替 -49億円)**

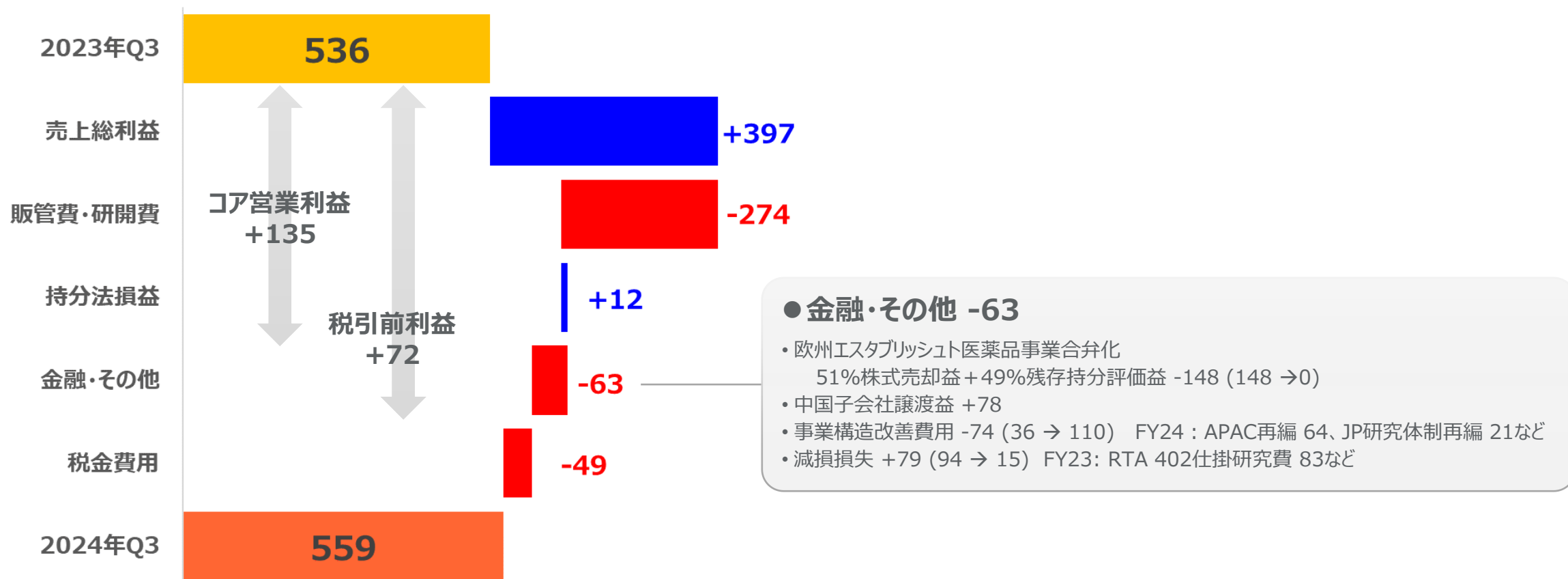
第Ⅲ相国際共同治験を実施中のKHK4083の開発進展とOrchardの新規連結により増加。

- **持分法投資損益 +12億円 (うち為替 +2億円)**

Grünenthal社との合併で行っている欧州エスタブリッシュト医薬品事業で、一部の国での事業の移管に伴う在庫譲渡益が発生。

対前年分析 ～四半期利益～

四半期利益(1-9月)
+23億円



コマーシャルアップデート

2024年キーアクション・Q3トピックス

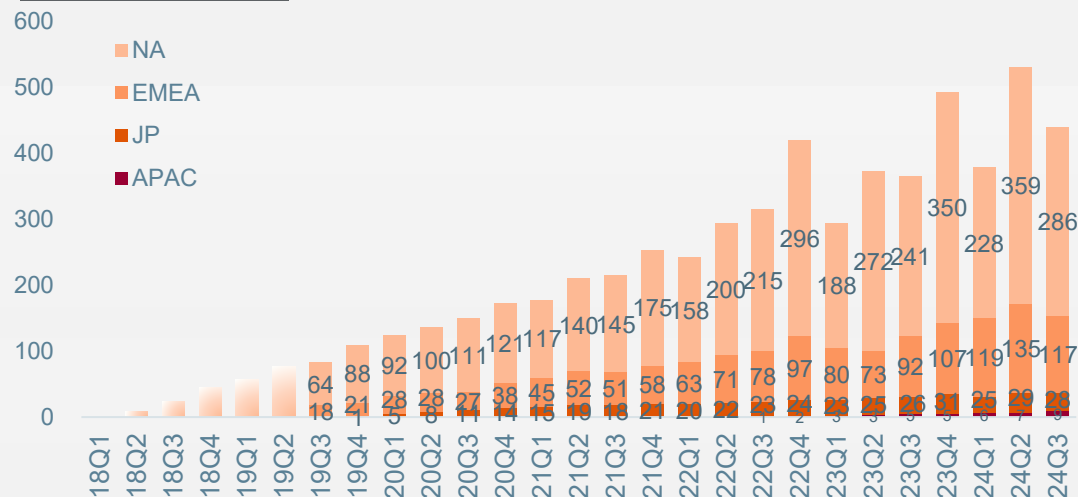
2024年キーアクション

- エビデンスに基づくマーケティング活動の強化。
- 北米： 疾患啓発活動の強化。自販体制基盤のさらなる強化。
- EMEA： 引き続き、適応及び上市国・地域の拡大に注力。成人XLHにおける市場浸透。
- 日本： 専任担当者を中心とするプロモーション活動のさらなる強化、成長加速。

Q3トピックス

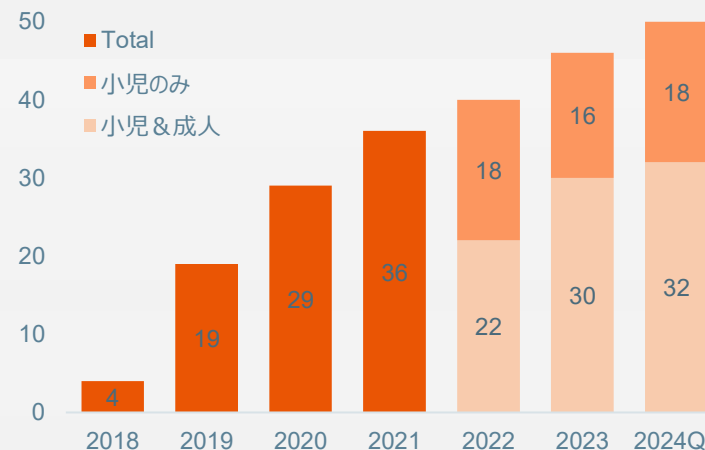
- エビデンスに基づくマーケティング活動の強化。
- 北米： 在庫調整の影響もあり、売上収益は直前四半期を下回るものの、年間を通じて着実な成長を継続（前同比+24%）。新規患者数は引き続き高い水準で進捗。小児から成人への移行期医療などの疾患啓発活動や、患者支援プログラムの強化を継続中。
- EMEA： 売上収益は、前四半期の前倒し出荷影響により直前四半期から微減も、患者浸透と前年の価格調整影響等により、前同比+52%の成長。
- 日本： 専任担当者を中心とするプロモーション活動を継続。

売上収益



*EAP (Early Access Program) による収益は2022年度まで売上収益に含めず、2023年度以降は金額的に僅少になることから売上収益に含めています。

XLH上市国・地域数



*Ultragenyx社が売上計上するラテンアメリカ及びトルコは含みません。

2024年キーアクション・Q3トピックス

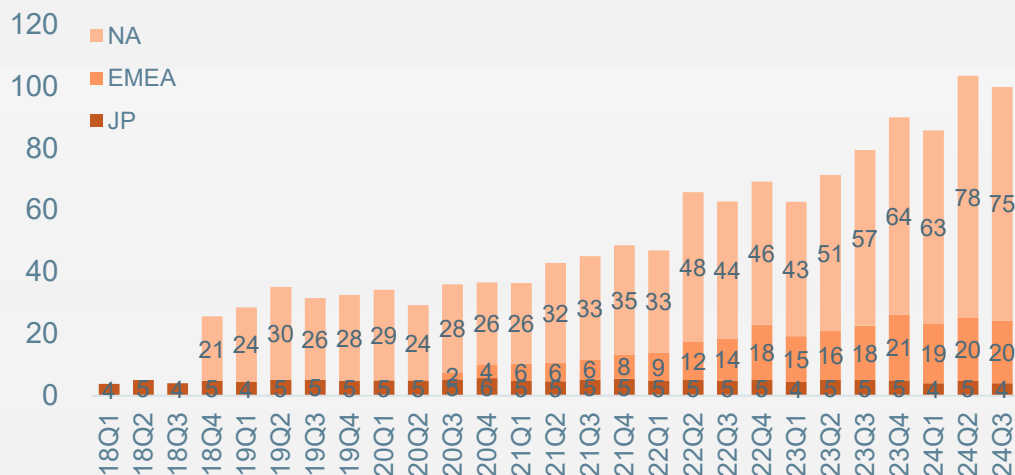
2024年キーアクション

- エビデンスを活用したマーケティング活動の進化による、既存マーケットへのさらなる浸透とターゲットの拡大。
 - ◆ 皮膚症状のあるCTCL患者さんに焦点を当てたプロモーション活動の拡大
 - ◆ 病状を正確に診断するための啓発活動（専門医への早期受診及び血液検査実施）を継続
 - ◆ 上市国/地域の拡大

Q3トピックス

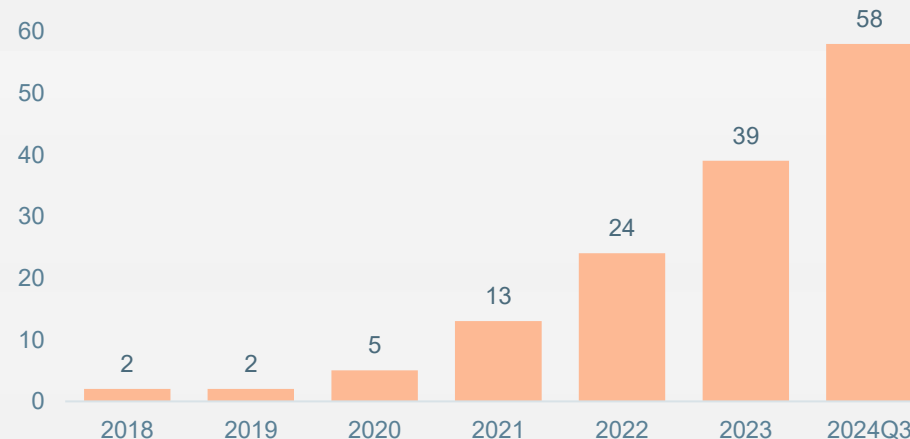
- 米国：売上収益は、前同比44%の増収。
エビデンスに基づき、血液病変が主となる症例だけでなく、皮膚病変が主となる早期症例にも焦点をあてるプロモーション活動を継続。
データ分析の結果に基づき、本剤の投与可能性がより高い医療施設を中心に
おいたプロモーション活動も順調に進捗。
- 欧州：売上収益は、マーケットエリアの拡大や患者浸透に伴い前同比24%の増収。

売上収益(億円)



*EAP (Early Access Program) による収益は2022年度まで売上収益に含めず、2023年度以降は金額的に僅少になることから売上収益に含めています。

上市国・地域数



R&Dアップデート

主要開発パイプラインのニューズフロー

開発コード 一般名	イベント (実施済みは太字表記)	予定時期 (オレンジ: 済)
KHK4083/AMG 451 rocatinlimab	アトピー性皮膚炎	P3 (ROCKETプログラム) HORIZONトップラインデータ開示
	結節性痒疹	P3
	喘息	P2
KHK4951 tivozanib	滲出型加齢黄斑変性	P2
	糖尿病黄斑浮腫	P2
KK4277	SLE, CLE	P1
KK2260	進行性又は転移性固形がん	P1
KK2269	進行性又は転移性固形がん	P1
KK2845	AML	P1 開始
KK8123	XLH	P1 開始
OTL-203	ムコ多糖症I型 (Hurler症候群)	ピボタル試験 ¹
OTL-201	ムコ多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型)	PoC試験 ²

1. P3試験相当; 2. P1/2試験相当

2024年のニュース

2024年初来の主なニュース

分類 公表日

ニュース概要

2024年10月31日現在

SP	1/5	線維化を伴う炎症性疾患治療薬の開発を目的とする化合物の独占的開発権をベーリンガーインゲルハイム社へ導出
SI	1/24	英国バイオ医薬品企業Orchard Therapeutics plc社の株式取得（子会社化）完了
R&D	2/5	ムコ多糖症 I 型（Hurler症候群）を対象としたOTL-203の臨床試験で最初の被験者の参加発表
R&D	2/6	糖尿病黄斑浮腫を対象としたtivozanib点眼液の第2相国際臨床試験における最初の症例登録完了
R&D	2/7	BridgeBio Pharma社と日本における骨系統疾患を対象としたinfigratinibの独占的ライセンス契約を締結
Finance	2/7	自己株式の取得及び自己株式の消却を決議
MKT	2/19	高リン血症治療剤フォゼベル錠の販売を開始（日本）
ESG	3/11	経済産業省より「健康経営優良法人2024（ホワイト500）」認定を取得（日本）
R&D	3/11	rocatinlimabのPhase2b試験のサブ解析データを米国皮膚科学会AADで発表
ESG	3/15	Shine a Light on XLH Virtual Exhibition 日本語訳版を公開（日本）
R&D	3/19	小児の異染性白質ジストロフィー（MLD）の治療法として開発したOTL-200（Lenmeldy）が、米国FDAによる承認を取得
R&D	3/28	抗FGF23抗体ブロスマブ（クリースビータ）の研究開発が日本薬学会創薬科学賞を受賞（日本）

ESG: 環境・社会・ガバナンス、LCM: ライフサイクルマネジメント、R&D: 研究開発、SCM: サプライチェーンマネジメント、SI: 戦略投資、SP: 戦略的パートナーリング、MKT: マーケティング、MGMT: 経営

2024年初来の主なニュース

分類 公表日

ニュース概要

2024年10月31日現在

LCM	5/17	持続型G-CSF製剤ジースタの自家抹消血管細胞移植のための造血幹細胞の抹消血中への動員に関する承認事項一部変更承認を取得（日本）
R&D	6/7	rocatinlimabのPhase2b試験における日本のサブ解析データを日本皮膚科学会総会で発表（日本）
SCM	6/10	米国ノースカロライナ州に新バイオ医薬品工場の建設を決定
ESG	6/14	高崎工場が環境大臣賞（地域環境保全功労者）を受賞（日本）
LCM	6/28	IL-17経路阻害薬ルミセフの剤形追加「ルミセフ皮下注210mgペン」（自動投与注射剤）に関する国内製造販売承認を申請（日本）
MKT	7/1	Orchard社が異染性白質ジストロフィーの新生児スクリーニングについて、グローバルな取り組みの進展を報告
ESG	7/12	日本腎臓病協会と共同で実施した慢性腎臓病（CKD）の疾患認知度に関する調査結果を公表（日本）
ESG	7/29	PSCI（Pharmaceutical Supply Chain Initiative）に加盟
SCM	8/1	APAC事業の再編と連結子会社（協和麒麟（中国）製薬有限公司）の出資持分譲渡を決定
R&D	8/1	2030年ビジョンの実現に向けた研究体制への移行および特別希望退職制度の導入を決定（日本）

ESG: 環境・社会・ガバナンス、LCM: ライフサイクルマネジメント、R&D: 研究開発、SCM: サプライチェーンマネジメント、SI: 戦略投資、SP: 戦略的パートナーリング、MKT: マーケティング、MGMT: 経営

2024年初来の主なニュース

分類 公表日

ニュース概要

2024年10月31日現在

ESG	8/9	FGF23関連低リン血症性くる病・骨軟化症に関する医師専用オンライン専門医相談サービスの利用開始（日本）
MKT	9/19	XLHの臨床現場の知見とCrysvitaによる治療の影響について米国骨代謝学会（ASBMR）の年次総会で発表
R&D	9/25	中等症から重症の成人アトピー性皮膚炎患者を対象としたrocatinlimab第3相臨床試験ROCKET HORIZONに関するトップライン試験結果を発表
LCM	10/3	IL-17経路阻害薬ルミセフの全身性強皮症に関する国内適応追加申請を取り下げ（日本）
R&D	10/24	東京科学大学生命理工学院教員がクロスアポイントメント制度を活用して研究員として着任（日本）
MGMT	10/31	代表取締役の異動に関するお知らせ
		前回決算発表からのアップデート

ESG: 環境・社会・ガバナンス、LCM: ライフサイクルマネジメント、R&D: 研究開発、SCM: サプライチェーンマネジメント、SI: 戦略投資、SP: 戦略的パートナーリング、MKT: マーケティング、MGMT: 経営

代表取締役の異動について

本日開催の取締役会において、代表取締役の異動が内定しました。
 本件は2025年3月開催予定の定時株主総会および同株主総会終了後の取締役会において正式に決定する予定です。

【異動の理由（抜粋）】

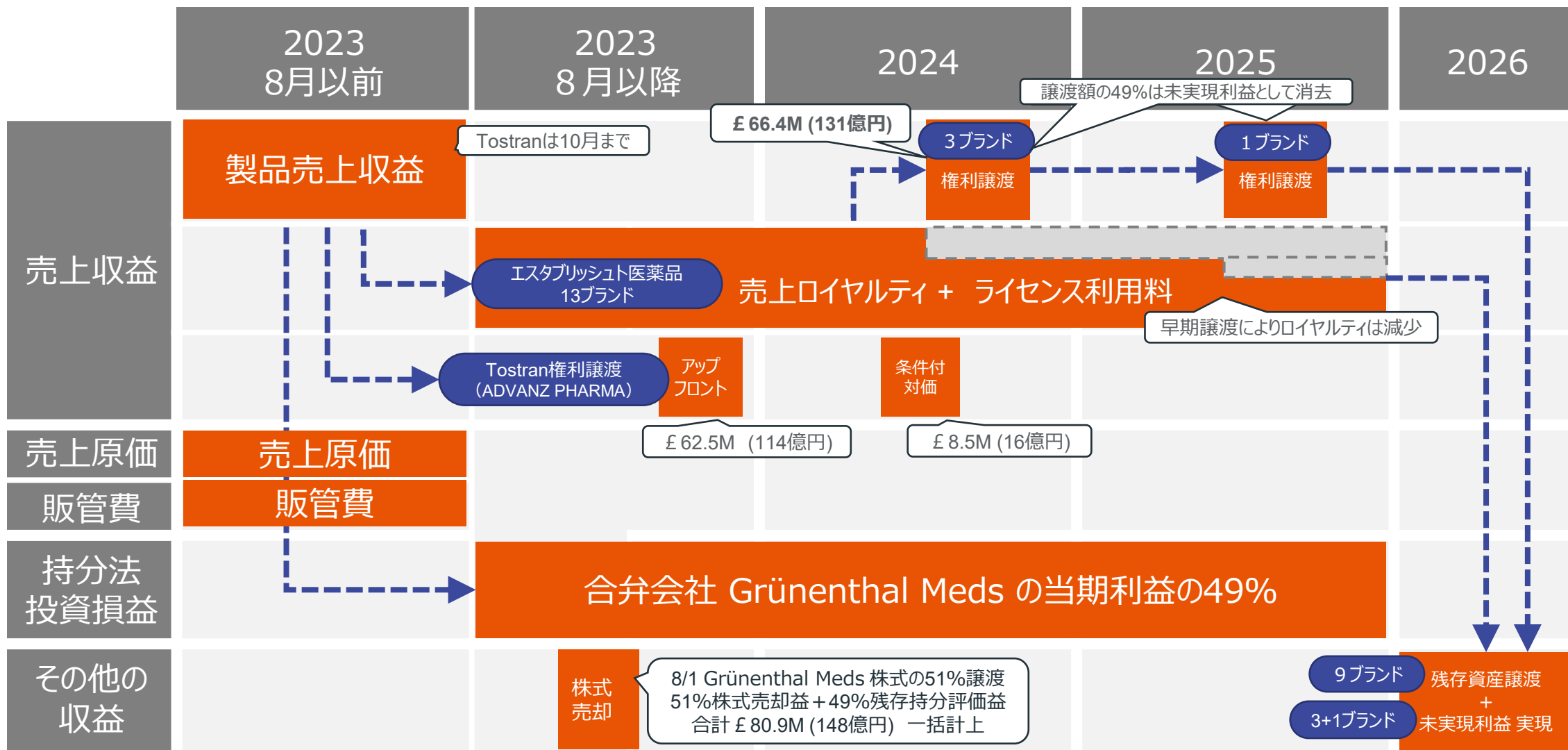
経営をグローバルレベルでより一層強固なものとするべく、体制を変更することで新たなステージに踏み出し、さらなる飛躍を目指します。新体制では新たにCOOを設置し、CEO・COOの二人体制を取ることにしました。会長CEOは会社の方向性や全体戦略の議論を主導し、ステークホルダーとの関係構築維持を行います。社長COOはグローバルレベルでの業務全体の遂行を統括し、各リージョンやファンクション間の連携をさらに強固にしながら、経営戦略を迅速かつ着実に進めます。



代表取締役社長COO候補
Abdul Mullick

	氏名	新職名	現職名
昇格	宮本 昌志	代表取締役会長 Chief Executive Officer (CEO)	代表取締役社長 Chief Executive Officer (CEO)
新任	Abdul Mullick	代表取締役社長 Chief Operating Officer (COO)	常務執行役員 Chief International Business Officer (CIBO)
退任	大澤 豊		代表取締役副社長 Chief Compliance Officer (CCO)

欧州エスタブリッシュト医薬品事業の損益影響 (2024 Q3追加)



- Kyowa Kirin International plc (以下「KKI」) は、2026年第1四半期に、13→9ブランドの知的財産を含むエスタブリッシュト医薬品事業に関する残存資産を Grünenthal 社に譲渡するオプションを保有し、Grünenthal 社は KKI から同事業を譲受するオプションを保有します。

APAC事業の再編の損益影響

		対象国・地域	2024 ~9月末	2024 10月以降
売上収益	Divest (エスタブリッシュト医薬品)	CN	顧客への直接販売 顧客への直接販売のほか、9月末にパートナーへのKR/TW在庫一括譲渡も発生(54億円)	パートナーへの製品供給
	Partnering (エスタブリッシュト医薬品&グローバル製品)	CN/HK/MO/ MY/SG/TH /KR/TW		パートナーへの製品供給
	自社販売継続 (グローバル製品)	KR/TW/AU		顧客への直接販売
売上原価		ALL	売上原価	売上原価
販管費	Divest / Partnering	CN/HK/MO/ MY/SG/TH/ KR/TW	販管費	
	自社販売継続 (グローバル製品)	KR/TW/AU		販管費
その他の 収益・費用			子会社株式売却益 事業構造改善費用	事業構造改善費用

CN: 中国、HK: 香港、MO: マカオ、MY: マレーシア、SG: シンガポール、TH: タイ、KR: 韓国、TW: 台湾、AU: オーストラリア

Appendix

2030年に向けたビジョン

2030年に向けたビジョン

協和キリンは、イノベーションへの情熱と
 多様な個性が輝くチームの力で、
 日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして
 病気と向き合う人々に笑顔をもたらす
 Life-changingな価値*の
 継続的な創出を実現します。

UMNを満たす 医薬品の提供

抗体技術の進化へ挑戦を続ける
 ことに加え、多様なモダリティを駆
 使し協和キリンの強みを生かした
 創薬により、有効な治療法のない
 病気の治療に取り組んでいきます。

社会からの信頼獲得

常に信頼され、成長が期待される
 企業であり続けるため、世界トップ
 クラスの製品品質とオペレーショ
 ナルエクセレンスを追求し続けます。

患者さんを中心においた 医療ニーズへの対応

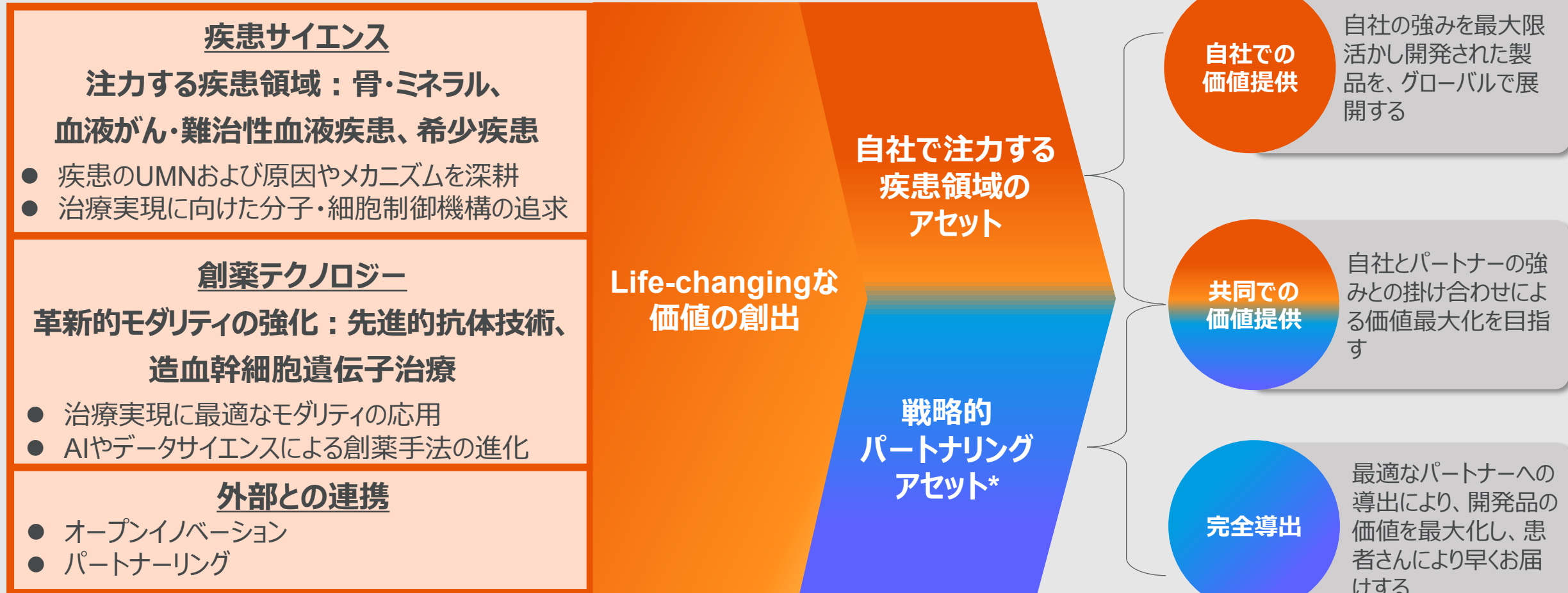
医薬品事業で培った疾患に関する
 知見と最先端の科学・技術の応用
 に努め、医薬品にとどまらない社会
 の医療ニーズに応えていきます。

* 病気と向き合う人々の満たされていない医療ニーズを見出し、その課題を解決するための新たな薬や
 サービスを創造し、提供することで、患者さんが「生活が劇的に良くなった」と感じ笑顔になること



Story for Vision 2030

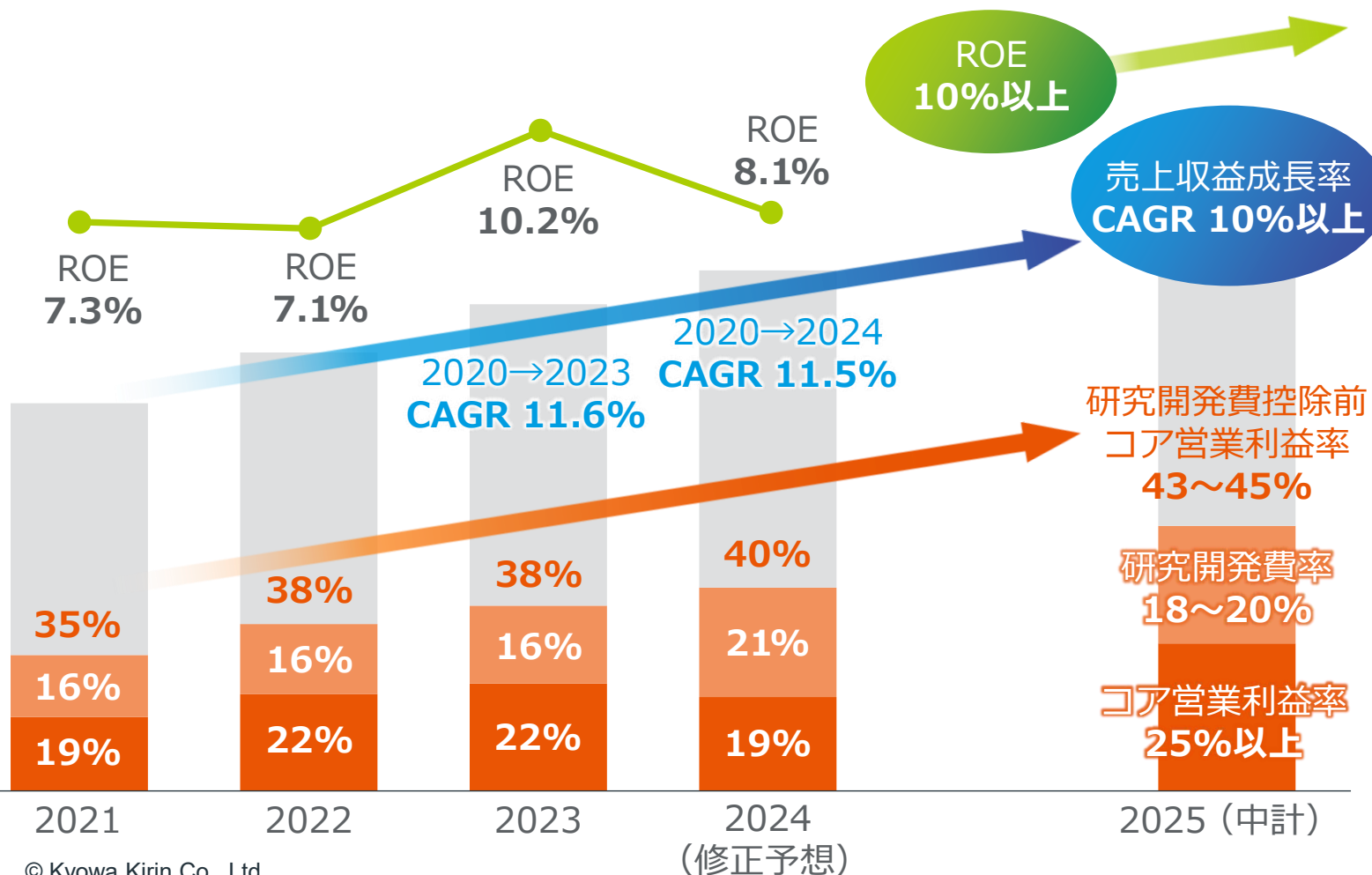
Life-changingな価値を創出・提供するための戦略



* 注力する疾患領域以外のアセットを戦略的パートナーリングアセットとし、パートナーとの連携で価値最大化を実現する

2021-2025年中期経営計画 2025年財務指標の見直し

- 2023年は過去最高益となり、ROE10%、CAGR10%以上を達成
- 環境変化に対応したビジネスモデルの再構成等により、2025年中計財務KPIの継続的な達成は2026年以降へ



2025年中計財務KPI 達成時期を2026年以降へ

- +**
 - Crysvitaの順調な伸長
 - KHK4083のAmgen社との提携
 - 円安の進行
- - Orchard買収による短期財務インパクト
 - KHK4083の開発投資の拡大
 - 薬価環境の悪化 (日本、欧州、中国)
 - 新製品の未上市 (開発中止、Nourianz欧州不承認)

Orchard Therapeutics社買収の企業結合会計（確定値）

- ✓ 2024年1月24日に株式取得を完了し、実質的には2024年2月度より新規連結
- ✓ 無形資産\$208M（308億円）、のれん\$230M（341億円）を計上
- ✓ 無形資産は20年間にわたり償却予定（Libmeldy/Lenmeldyは上市済のため、19年間で償却予定）

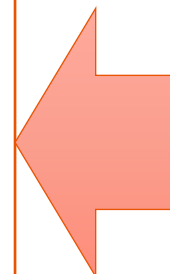
（単位 百万米ドル）

【無形資産 \$208M(308億円)の内訳】

- Libmeldy/Lenmeldy \$118M (175億円)
- OTL-203 \$90M (133億円)

【年間償却費】

- Libmeldy/Lenmeldy \$6M
⇒ 2024年2月～償却開始
- OTL-203 \$4M
⇒ 上市後償却開始予定



諸資産 122	諸負債 91
無形資産 208	支払対価 478
のれん 230	
その他の費用 9	

- ✓ 上記の支払対価478百万米ドルは、オプション、Restricted Stock Unit等のその他証券についてOrchard社にて支払をおこなった金額を含んでおり、企業結合会計上の取得対価は386百万米ドル（約571億円）となります。

主要開発パイプライン (Ph2以降)

	開発中の疾患*1	承認予定年*2	開発ステータス	市場規模*3	患者さんの数*4
KHK4083/ AMG 451 rocatinlimab	中等度から重症の アトピー性皮膚炎	2026/2027	P3 (グローバル)	★★★★★	16M
	結節性痒疹	TBD	P3 (グローバル)	★★★★	1M
	中等度から重症の喘息	TBD	P2 (グローバル)	★★★★★	13.5M
KHK4951 tivozanib	滲出型加齢黄斑変性	TBD	P2 (日・米)	★★★★	2,600K
	糖尿病黄斑浮腫	TBD	P2 (日・米)	★★★★	3,400K
OTL-203	ムコ多糖症I型 (Hurler症候群)	2029/2030	ピボタル試験*5 (米・欧)	★	生児出生の 10万人に1人*6
OTL-201	ムコ多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型)	TBD	POC試験*7	★	生児出生の 10万人に1人以下

*1 本資料の発表時点で開発中の疾患であり、最終的に規制当局から承認される適応症とは異なる可能性があります。*2 最初に承認が期待される年です。*3 「開発中の疾患」に対する全製品の総和を基に当社が独自に推計した市場規模です。色付き部分はグローバル、それ以外は日本国内についての値です。★: 500億円未満、★★: 500億円以上-1000億円未満、★★★: 1000億円以上-5000億円未満、★★★★: 5000億円以上-1兆円未満、★★★★★: 1兆円以上 *4 当社独自の推計値です。色付き部分はグローバル、それ以外は日本国内についての値です。*5 P3試験相当。*6 「10万人に1人」はMPS-IH全体の値であり、Hurler症候群はこのうちの60%になります。*7 P1/2試験相当。


主要開発パイプライン（非臨床～Ph1）

	開発中の疾患*1	開発ステータス	モダリティ、使用技術
KK4277	全身性エリテマトーデス 皮膚エリテマトーデス	P1（日本）	抗体、POTELLIGENT®
KK2260	進行性又は転移性固形がん	P1 （日：進行中、米：準備中）	抗体、REGULGENT™
KK2269	進行性又は転移性固形がん	P1（日・米）	抗体、REGULGENT™
KK2845	急性骨髄性白血病（AML）	P1（日本）	抗体薬物複合体（ADC）
KK8123	XLH	P1（米・欧）準備中	抗体

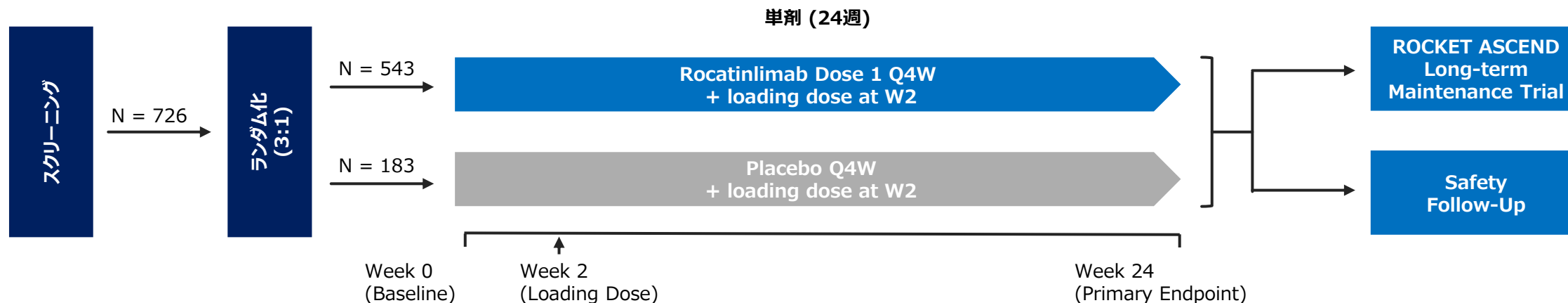
*1 本資料の発表時点で開発中の疾患であり、最終的に規制当局から承認される適応症とは異なる可能性があります。

主要開発パイプライン：今後の予定

T : トップラインデータ D : 詳細データ発表 (学会・論文等) 2024年10月31日現在

開発コード 一般名	標的疾患		2024	2025	2026	+	
KHK4083/ AMG 451 rocatinlimab	中等度から重症の アトピー性皮膚炎	P3	[Progress bar]				IGNITE
		P3	[Progress bar]				HORIZON
		P3	[Progress bar]				SHUTTLE
		P3	[Progress bar]				ASTRO
		P3	[Progress bar]				ORBIT
		P3	[Progress bar]				VOYAGER
		P3	[Progress bar]				ASCEND
		P3	[Progress bar]				OUTPOST
	結節性痒疹	P3	[Progress bar]				
	中等度から重症の喘息	P2	[Progress bar]				
KHK4951 tivozanib	滲出型加齢黄斑変性	P2	[Progress bar]				
	糖尿病黄斑浮腫	P2	[Progress bar]				
KK4277	全身性エリテマトーデス 皮膚エリテマトーデス	P1	[Progress bar]				
KK2260	進行性又は転移性固形がん	P1	[Progress bar]				
KK2269	進行性又は転移性固形がん	P1	[Progress bar]				

ROCKET HORIZON 試験デザイン



主要な適格基準

- 18歳以上、中等度から重症のアトピー性皮膚炎
- vIGA-AD 3 または 4
- EASI \geq 16
- BSA \geq 10%
- 過去7日間の最悪かゆみのNRS \geq 4
- 外用剤ではコントロール不能、生物学的製剤使用者を含む

試験デザインに対する主要考慮事項

レスキュー療法は必要に応じて許可

- レスキュー療法を使用した被験者は非応答者と見なす
- アトピー性皮膚炎に対する全身的なレスキュー療法が使用された場合、研究治療は中止（14日以下のコルチコステロイドは除く）。

層別化:

- vIGA-AD 3 と vIGA-AD 4
- 日本 対 非日本のアジア諸国 対 その他の地域 (RoW)

Q4W = every 4 weeks; W2 = week 2; vIGA-AD = Validated Investigator Global Assessment for Atopic Dermatitis; EASI = Eczema Area and Severity Index; BSA = body surface area; NRS = numerical rating scale; RoW = rest of world.

ROCKET HORIZON : 結果概要

■ 主要評価項目 : 達成

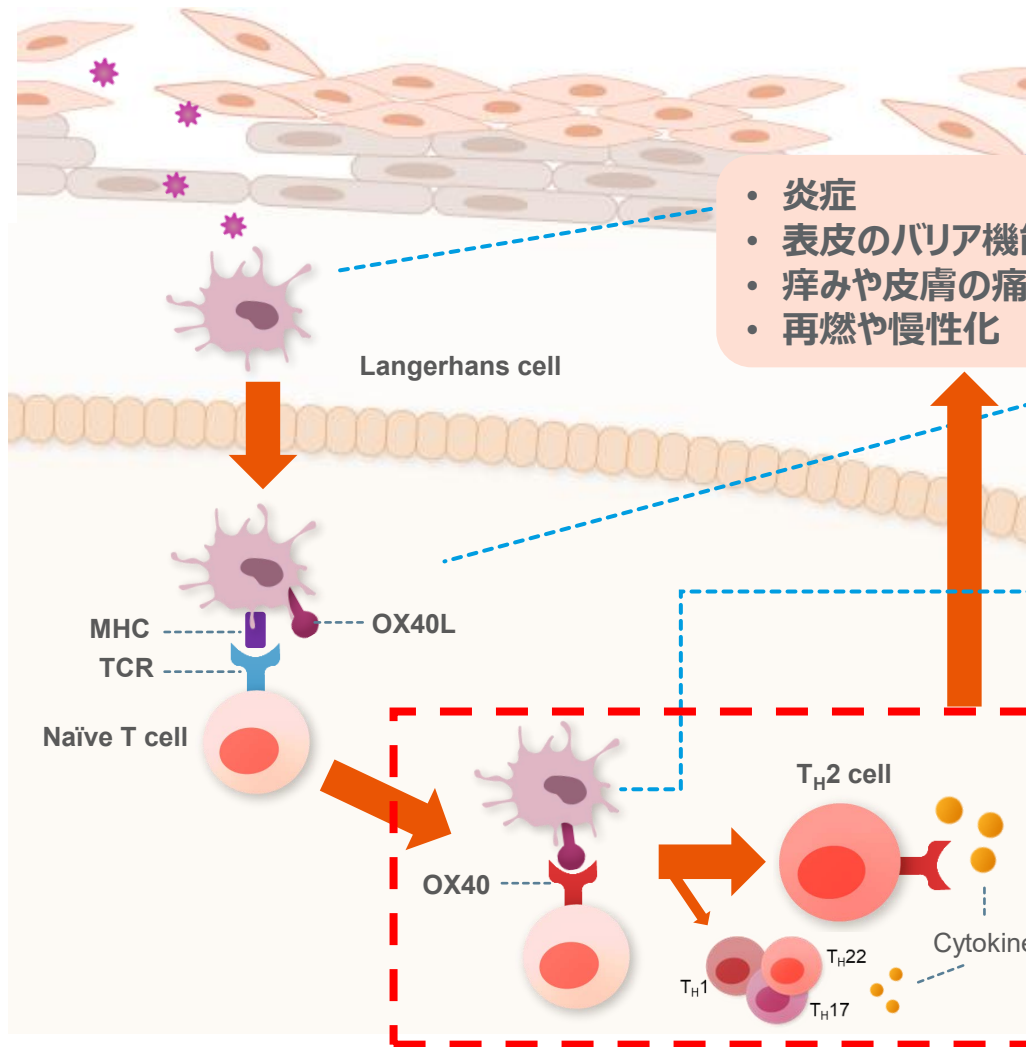
- vIGA-AD™ 0/1¹かつベースラインから2ポイント以上の減少 : 米国以外
 rocatinlimab 19.3% vs. プラセボ 6.6% (12.8%の差、p<0.001)
- EASI-75² : 米国以外 米国
 rocatinlimab 32.8% vs. プラセボ 13.7% (19.1%の差、p<0.001)
- rIGA 0/1³ : 米国
 rocatinlimab 16.4% vs. プラセボ 4.9% (11.5%の差、p<0.001)

■ 主要な副次評価項目⁴ : 全て達成

■ 安全性プロファイル : P2b試験と同等

1. validated Investigator Global Assessment for Atopic Dermatitis スコア0 (なし) または1 (ほぼなし)
 2. Eczema Area and Severity Index (EASI) スコアのベースラインからの75%以上の低下
 3. より厳格な定義に基づく有効性尺度。ベースラインからの2ポイント以上の減少を示してvIGA-AD スコア0を達成すること、もしくはわずかに知覚できる紅斑のみが存在する状態でvIGA-AD スコア1を達成することとして定義される
 4. 16週時点のvIGA 0/1およびEASI-75、24週時点のEASI-90) や、掻痒NRS (Numerical Rating Scale) 、アトピー性皮膚炎の皮膚痛スケール、皮膚疾患特異的なQOL評価指標 (DLQI) 、手のアトピー性皮膚炎の重症度スコアおよび顔のアトピー性皮膚炎の重症度スコア

OX40シグナル伝達：T細胞による炎症やADの病態形成に深く関与



- 炎症
- 表皮のバリア機能不全
- 痒みや皮膚の痛み
- 再燃や慢性化

皮膚を通過した抗原と接触したランゲルハンス細胞は、活性化してOX40Lを発現¹⁻³

TCR/MHC相互作用によりナイーブT細胞が活性化し、一過性にOX40を発現^{1,4,5}

OX40-OX40L相互作用によるOX40シグナル伝達は下流の経路を活性化し、T細胞の増殖、生存、分化、エフェクター機能を誘導³⁻⁶

OX40シグナル伝達の下流において、AD患者の皮膚中Th2細胞は炎症及びADの病態形成を促進するサイトカインを分泌^{1,7,8}

From 2023 AAD annual Meeting 2023
17-21 March 2023 を一部改変

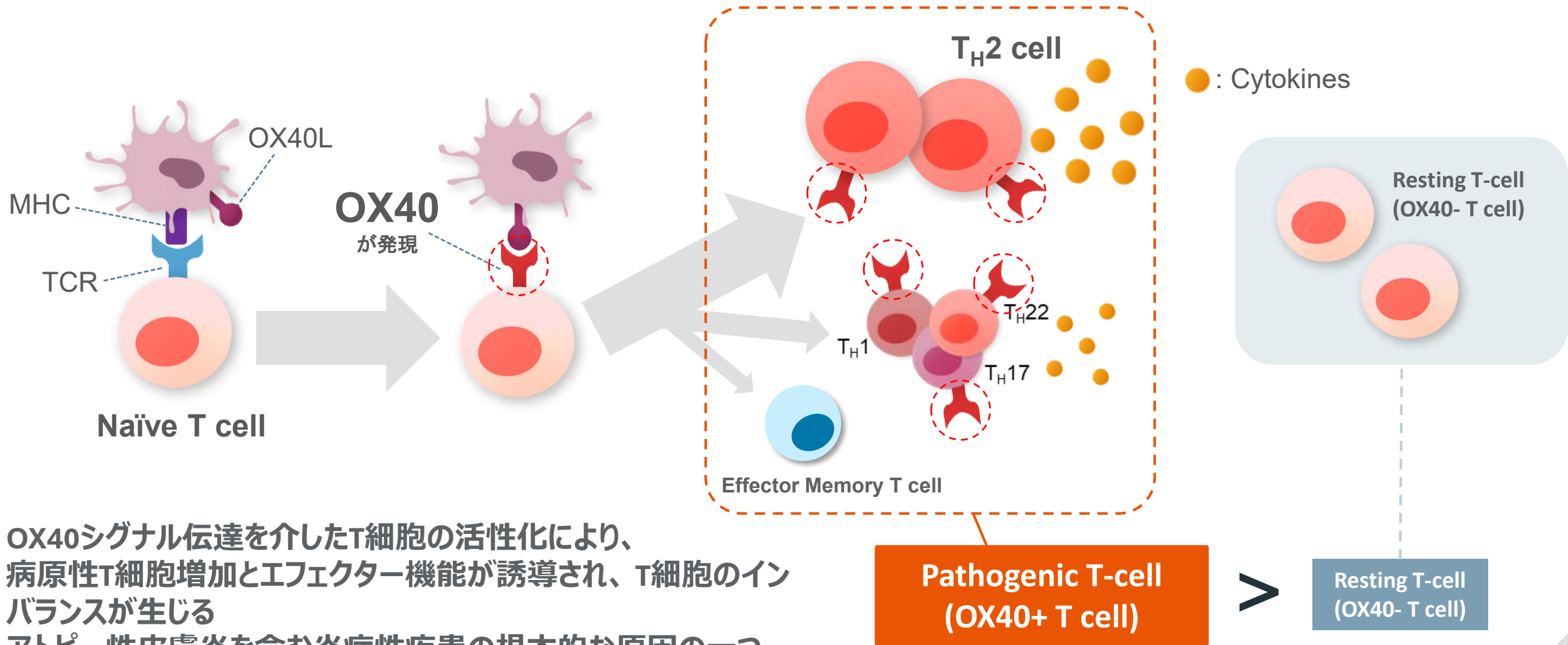
ADの病態に関与する他のT細胞サブセット (Th1, Th17, Th22等)も同様の過程を辿る^{2,8-10}

エフェクターT細胞に対するOX40シグナル伝達は、メモリーT細胞の形成を誘導し、ADの慢性化に寄与^{1,3,11}

AD=atopic dermatitis; MHC=major histocompatibility complex; OX40=OX40 receptor; OX40L=OX40 ligand; TCR=T-cell receptor; T_H=T helper cell.

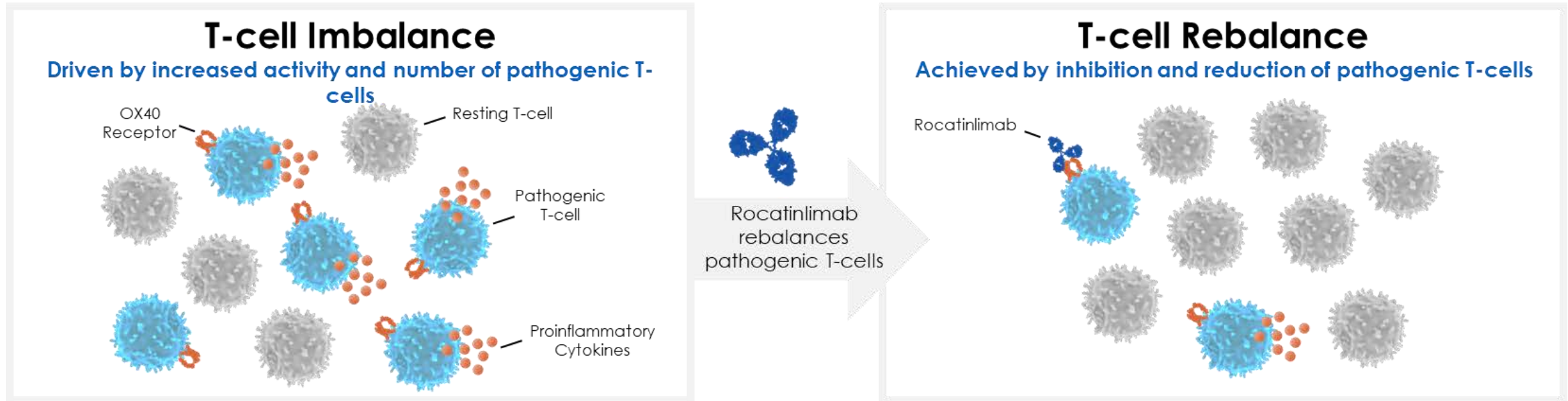
1. Furue M, et al. *J Clin Med*. 2021;10:2578. 2. Guttman-Yassky E, et al. *Semin Cutan Med Surg*. 2017;36:100-103. 3. Croft M, et al. *Immunol Rev*. 2009;229:173-191. 4. Magee CN, et al. *Am J Transplant*. 2012;12:2588-2600. 5. Goronzy JJ, et al. *Arthritis Res Ther*. 2008;10(suppl 1):S3. 6. Mascarelli DE, et al. *Front Cell Dev Biol*. 2021;9:692982. 7. Krohn IK, et al. *Allergy*. 2022;77:827-842. 8. De Bruyn Carlier T, et al. *J Autoimmun*. 2021;120:1026345. 9. Kumar S, et al. *Int J Mol Sci*. 2019;20:2159. 10. Fu Y, et al. *Acta Pharm Sin B*. 2020;10:414-433. 11. Chen L, et al. *Cell Mol Immunol*. 2020;17:64-75.

OX40シグナル伝達：T細胞インバランスを導く



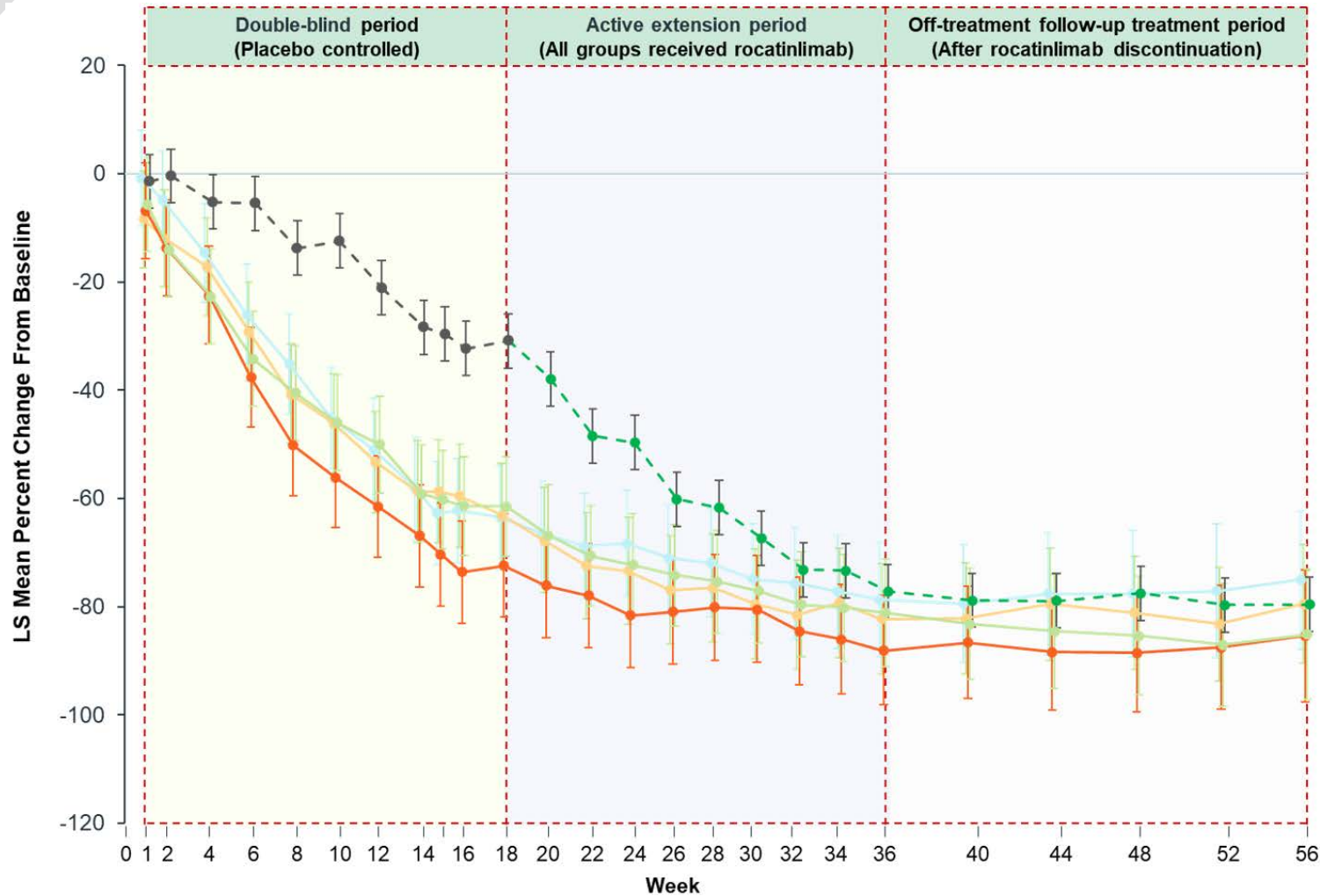
OX40シグナル伝達を介したT細胞の活性化により、
病原性T細胞増加とエフェクター機能が誘導され、T細胞のイン
バランスが生じる
アトピー性皮膚炎を含む炎症性疾患の根本的な原因の一つ
重症度、悪化、および疾患の持続に寄与

Rocatinlimab Rebalances T-cells by Targeting OX40 Receptor



- T-cell imbalance is a root cause of inflammatory disease
- Atopic dermatitis is driven in part by the proliferation of pathogenic T-cells
- Rocatinlimab has the potential to inhibit and reduce pathogenic T-cells across heterogeneous patient types by targeting OX40 inhibitor

Rocatinlimabの第2相試験結果¹ (Full Analysis Set)



The Least-squares (LS) mean percent change in Eczema Area and Severity Index (EASI) score

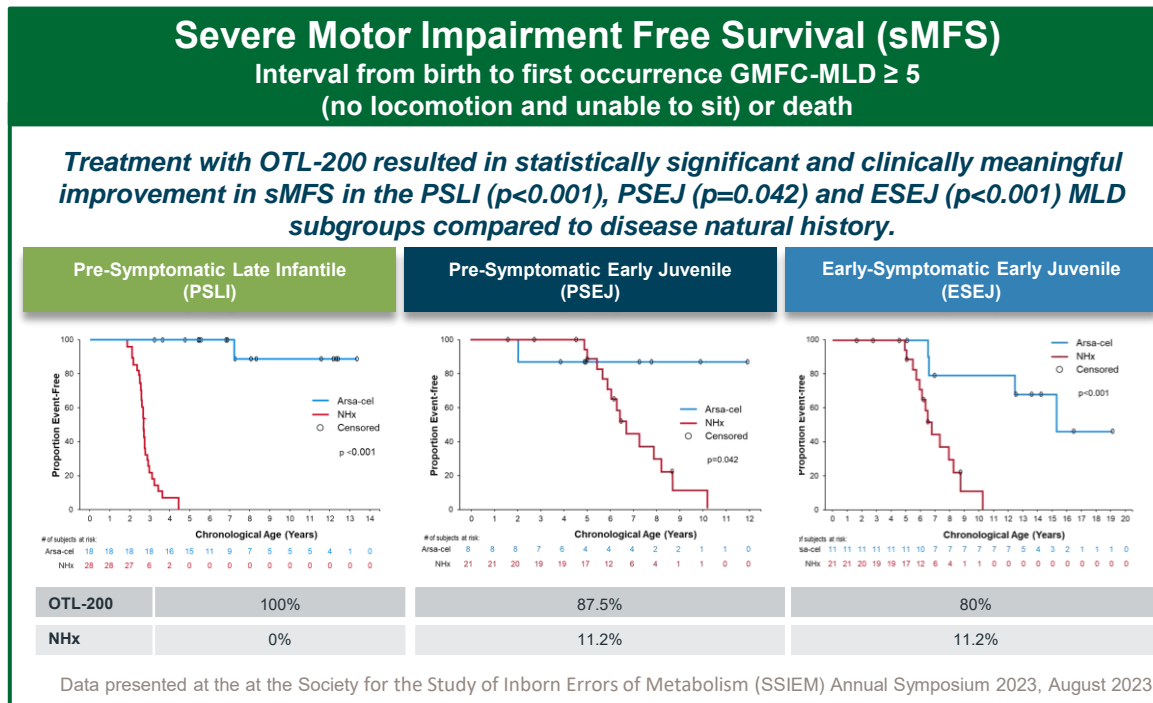
	Week 16	Week 24	Week 36	Week 56
Rocatinlimab 150 mg Q4W, %	-62.2	-68.3	-78.7	-75.0
Rocatinlimab 600 mg Q4W, %	-59.5	-73.4	-82.3	-79.5
Rocatinlimab 300 mg Q2W, %	-73.6	-81.6	-88.1	-85.4
Rocatinlimab 600 mg Q2W, %	-61.4	-72.2	-81.1	-85.1
Placebo/rocatinlimab 600 mg Q2W, %	-32.3	-49.7	-77.2	-79.6

投与終了後（36週以降）もEASIスコアの改善が継続

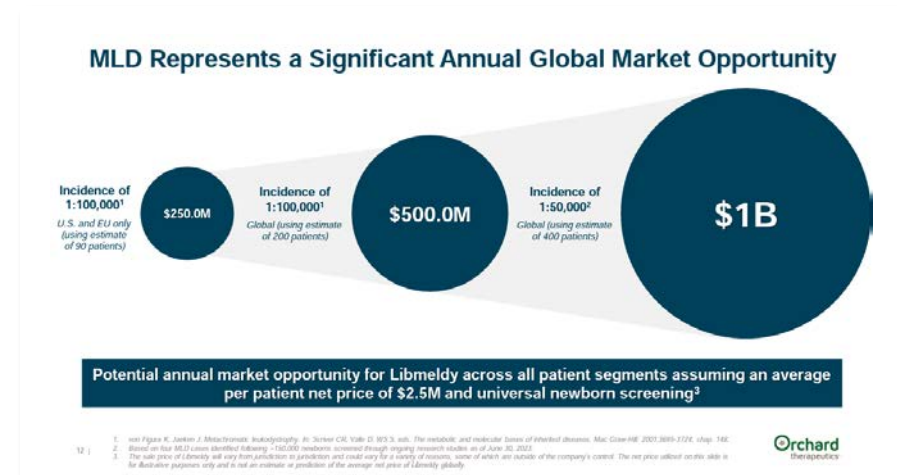
Libmeldy/Lenmeldy (OTL-200, atidarsagene autotemcel)

■ 異染色性白質ジストロフィー (Metachromatic Leukodystrophy, MLD)

- 致死性の遺伝性中枢神経系疾患
- 運動機能と認知機能が急速かつ不可逆的に失われる
- 重篤例では発症から5年で死亡¹



Ref.) Orchard Therapeutics plc, Q2 2023 Financial Results and Webcast
<https://ir.orchard-tx.com/static-files/9fed8b65-2fd9-491a-97c0-69bf6595c0c3>



- 患者さん1人当たりの平均薬価が250万ドル
- 想定する全ての新生児にスクリーニングが可能と仮定した場合のすべてのセグメントを合計したLibmeldy®の年間売上想定²

為替関連情報

期中平均為替レート

	2023年Q3実績	2024年Q3実績	前年比	2024年修正予想
米ドル (USD)	137円	151円	+14円	151円
英ポンド (GBP)	170円	193円	+23円	191円
ユーロ (EUR)	148円	164円	+16円	163円

2024年Q3 為替影響額 (前年対比)

	売上収益	コア営業利益
米ドル (USD)	+142億円	+47億円
英ポンド (GBP)	+23億円	+2億円
ユーロ (EUR)	+38億円	+21億円

2024年度 為替感応度 (業績予想ベース)

	変動	売上収益	コア営業利益
米ドル (USD)	1円安	+14億円	+4億円
英ポンド (GBP)	1円安	+2億円	-0億円
ユーロ (EUR)	1円安	+3億円	+2億円

KHK4083/AMG 451 ～Amgen社とのコラボレーション～

	アメリカ	欧州、アジア (日本を除く)	日本
開発	<ul style="list-style-type: none"> • Amgenが開発主導 • 開発コストは両社で折半 	<ul style="list-style-type: none"> • Amgenが開発主導 • 開発コストは両社で折半 	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリンが開発主導
販売	<ul style="list-style-type: none"> • Amgenが販売、売上計上 • 協和キリンはコプロモーション、費用は両社で折半 	<ul style="list-style-type: none"> • Amgenが販売、売上計上 • 協和キリンはコプロモーションのオプション権利を保有 	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリンが販売、売上計上
売上ロイヤルティ	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリンは2桁%台の売上ロイヤルティを受領 	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリンは2桁%台の売上ロイヤルティを受領 	
製品供給	<ul style="list-style-type: none"> • Amgen 	<ul style="list-style-type: none"> • Amgen 	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリン

協和キリンは、契約一時金（400百万ドル、受領済み）のほか、今後、条件に応じたマイルストーン収入（累計で最大850百万ドル）と売上ロイヤルティをAmgen社より受領予定

推定患者数

疾患	国/地域	発生率	有病率*	出典
PTCL	日本		2,000	厚生労働省 平成29年患者調査、傷病基本分類別
CTCL	日本		2,000	厚生労働省 平成29年患者調査、傷病基本分類別
	米国	1,500 / 年		SEER Data (2001-2007)
XLH	日本	1:20,000	成人: 5,000 小児: 1,000	本疾患の推定発症率に基づく概算; Nationwide survey of fibroblast growth factor 23 (FGF23)-related hypophosphatemic diseases in Japan: prevalence, biochemical data and treatment. (Endo I et al., Endocr J., 2015)
	欧州	1:20,000	成人: 12,000 小児: 3,000	本疾患の推定発症率に基づく概算
	米国	1:20,000	成人: 12,000 小児: 3,000	本疾患の推定発症率に基づく概算; New perspectives on the biology and treatment of X-linked hypophosphatemic rickets. (Carpenter TO, Pediatr Clin North Am., 1997)
TIO	日本		30	2010年 厚生労働省 ホルモン受容機構異常に関する疫学調査研究
	米国		500-1,000	Ultragenyx社調査
AD	日本、北米、欧州		30,000,000	Decision Resources社調査
nAMD	日本、米国		2,300,000	Decision Resources社調査
MLD	グローバル	1:40,000-160,000		https://medlineplus.gov/genetics/condition/metachromatic-leukodystrophy/#frequency
MPS-IH	グローバル	1:100,000		Puckett et al. 2021 Orphanet J Rare Dis 16:241: US NBS data (MPS-I incidence derived from NBS data in Table 3)
MPS-IIIA	グローバル	1:100,000		Trinity Partners research report 2013 based on literature and KOL feedback

* 有病率は国または地域の全人口あたりの推定人数

略語集

AD	Atopic Dermatitis	アトピー性皮膚炎
AG	Authorized Generic	オーソライズド・ジェネリック
APAC	Asia-Pacific	アジア太平洋
AML	Acute Myeloid Leukemia	急性骨髄性白血病
BS	Biosimilar	バイオ後続品
CTCL	cutaneous T cell lymphoma	皮膚T細胞リンパ腫
DME	Diabetic Macular Edema	糖尿病黄斑浮腫
EMEA	Europe, the Middle East and Africa	欧州・中東・アフリカ
JP	Japan	日本
LCM	Lifecycle Management	ライフサイクルマネジメント
MDS	Myelodysplastic syndromes	骨髄異形成症候群
MF	Mycosis fungoides	菌状息肉腫
MLD	Metachromatic Leukodystrophy	異染性白質ジストロフィー
MPS-IH	Mucopolysaccharidosis type I, Hurler syndrome	ムコ多糖症I型（ハーラー症候群）
MPS-IIIA	Mucopolysaccharidosis type IIIA	ムコ多糖症IIIA型
NA	North America	北米
nAMD	neovascular Age-related Macular Degeneration	滲出型加齢黄斑変性
PTCL	peripheral T-cell lymphoma	末梢性T細胞リンパ腫
SS	Sézary syndrome	セザリー症候群
TIO	Tumor Induced Osteomalacia	腫瘍性骨軟化症
XLH	X-linked Hypophosphatemia	X染色体連鎖性低リン血症



～本資料のお問合せ先～

協和キリン株式会社

コーポレートコミュニケーション部

03-5205-7206 / ir@kyowakirin.com