



協和キリン株式会社

2024 年 12 月期決算説明会

2025 年 2 月 7 日

イベント概要

[イベント名]	2024 年 12 月期決算説明会		
[決算期]	2024 年度 通期		
[登壇者]	5 名		
	代表取締役社長 CEO	宮本	昌志（以下、宮本）
	取締役専務執行役員 CMO	山下	武美（以下、山下）
	常務執行役員 CFO	川口	元彦（以下、川口）
	常務執行役員 CIBO	アブドゥル・マリック （以下、マリック）	
	コーポレートコミュニケーション部長	中村	博樹（以下、中村）

登壇

中村：皆様、本日はお忙しい中、弊社の決算説明会にお越しいただき誠にありがとうございます。私は、本日の司会を務めます、協和麒麟株式会社コーポレートコミュニケーション部の中村と申します。どうぞよろしくお願いいたします。

ただいまより、昨日午後 3 時 30 分に発表した、協和麒麟株式会社 2024 年 12 月期決算に関する説明会を開催いたします。

説明会の開始に先立ちまして、いくつか注意事項がございます。本日、会場およびオンラインでご参加いただきました皆様のお名前、会社名につきましては、参加者リストとして弊社内で一定期間保管させていただきますことをあらかじめご了承ください。また、本説明会の内容は、オンデマンド配信およびトランスクリプトとして弊社 Web サイトに公開いたしますので、その点ご了承の上、ご発言いただきますよう、よろしくお願いいたします。

そして、本日ご紹介する内容には将来に関する記述が含まれます。さまざまなリスクにより、不確実性がございますので、その点ご了承ください。

本日は、全体説明の後、質疑応答の時間を設けます。

本日のスピーカーは、代表取締役社長 CEO の宮本昌志、質疑対応は、宮本に加え、取締役専務執行役員 CMO の山下武美、常務執行役員 CFO の川口元彦、業務執行役員 CIBO のアブドゥル・マリックの 4 名でお受けします。

本日の説明会は、説明と全体質疑、合わせて 100 分を予定しております。長時間にわたる説明となりますため、登壇役員は着席して進行させていただきます。あらかじめご了承ください。

2024年の振り返り

UMNを満たす医薬品の提供

- 2030年ビジョンの実現に向けた戦略「Story for Vision 2030」を策定
- グローバル戦略品の価値最大化
 - ✓ 北米・EMEAでのCrysvita及びPoteligeoの着実な成長
 - ✓ Crysvitaの上市国・地域数52へ拡大、成人XLHの保険償還開始（イギリス）
- 画期的な医薬品の継続的創出
 - ✓ rocatinlimabのアトピー性皮膚炎を対象とした第III相臨床試験であるROCKET HORIZON試験で主要評価項目および全ての主要な副次的評価項目を達成
 - ✓ rocatinlimabの喘息・結節性痒疹を対象とした臨床試験を開始
 - ✓ Kura Oncology社とziftomenibの開発と販売に関するグローバルな戦略的提携
 - ✓ 米国で異染色性白質ストロフィーの治療Lenmeldyの承認およびスペイン、Beneleuxの保険償還
 - ✓ ADCを含む複数のプロダクトが臨床入り

患者さんを中心においた医療ニーズへの対応

- 医薬品アクセス向上
 - ✓ 北米でCrysvitaの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
 - ✓ 米国・欧州におけるMLD新生児スクリーニングの拡大に向けた活動を支援
 - ✓ 患者支援団体と連携し、CTCLの診断と治療の改善を目指すグローバルコンセンサス「Time to Act」を発表
- 医薬品にとどまらない価値の提供
 - ✓ 新たな価値創出を目指すCowellnex株式会社をキリンホールディングス社とのジョイントベンチャーとして設立
 - ✓ XLH Community Impact Surveyを通じた課題の明確化（米国）
 - ✓ XLH患者さんやご家族向けのFacebookオンラインコミュニティ「くつボイ」開設（日本）

Life-changingな価値を実現する人材・基盤の強化

- 人材育成・組織力・デジタル基盤・その他
 - ✓ CSCOの設置、全ての機能を網羅したCxO体制確立による執行の強化
 - ✓ Global戦略を力強く推進し、Life-Changing Valueの継続的な創出を実現する人・組織のありたい姿を具体的な行動として言語化（KABEGOE Principles）
 - ✓ 重点領域およびモダリティでの取り組み強化を目指したグローバル研究体制への移行
 - ✓ アジア・パシフィック地域に係る事業の再編を実施
 - ✓ PSCI（Pharmaceutical Supply Chain Initiative）に加盟

社会からの信頼獲得

- 高品質な医薬品の安定供給
 - ✓ 複数の生産拠点からの主要製品供給体制構築を推進
 - ✓ バイオ医薬原薬製造棟（HB7）建設を継続（2025年3月竣工予定）
 - ✓ 米国での新バイオ医薬品工場建設に着手
- 地球環境の保全への貢献
 - ✓ GHG排出量（Scope1,2）を対2019年比で67%削減
 - ✓ GHG排出量（Scope3）の削減に向けた取り組み開始
 - ✓ 高崎工場で環境大臣賞、宇部工場で中国経済産業局長表彰を受賞

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

5

宮本：おはようございます。お忙しい中、ご参集いただきまして誠にありがとうございます。あらためまして、協和キリンの宮本でございます。私から、スライドを使用しながらご説明したいと思います。

はじめに、昨年の2024年の進捗について、定性的な振り返りを簡単にしたいと思います。アンメットメディカルニーズを満たす医薬品の提供に関しては、ビジョンの実現をより確かなものにすべく、昨年、Story for Vision 2030を策定し、解像度を上げた戦略ストーリーに基づく取り組みを進めております。

CrysvitaとPoteligeoは、2024年も着実に成長を遂げております。研究開発では、rocatinlimabのROCKETプログラムが順調に進み、HORIZON試験では主要評価項目と全ての主要な副次評価項目を達成しております。

アトピー性皮膚炎以外の疾患を対象とする試験もスタートしております。Kura社との戦略提携により、血液がん、難治性血液疾患領域でグローバルな後期開発品を追加することができております。

初期開発フェーズでも複数のプロダクトが臨床入りし、開発パイプラインの拡充が進んだ年となりました。

患者さんを中心においた医療ニーズへの対応については、患者団体の支援活動や患者団体との協働を通じ、医薬品アクセスの向上に向けた取り組みを進めるとともに、地域の状況に合わせた患者さん支援活動を継続しております。

加えて、キリンホールディングス社との共同出資により、新たな価値創出を目指す、Cowellnex 社を設立しております。

その他、細かな説明を省略させていただきますが、社会からの信頼獲得や Life-changing な価値を実現する人材基盤の強化に向けた取り組みも、ほぼ予定していた活動を実行することができております。

FY24 業績サマリー					
	2023年 実績	2024年 実績	増減	2024年 修正予想	達成率
売上収益 [海外売上比率]	4,422 [65%]	4,956 [72%]	+533 (+12%)	4,920 [71%]	101%
売上総利益 [売上総利益率]	3,310 [75%]	3,629 [73%]	+319 (+10%)	3,640 [74%]	100%
販売費及び一般管理費 [販管費率]	1,631 [37%]	1,675 [34%]	+45 (+3%)	1,680 [34%]	100%
研究開発費 [研究開発費率]	721 [16%]	1,035 [21%]	+314 (+44%)	1,050 [21%]	99%
持分法投資損益	9	35	+26 (+275%)	10	354%
コア営業利益 [コア営業利益率]	968 [22%]	954 [19%]	-14 (-1%)	920 [19%]	104%
当期利益	812	599	-213 (-26%)	680	88%
ROE	10.2%	7.1%			
配当性向 ¹	35.5%	47.8%			

(単位は億円、単位未満四捨五入)

【為替情報】

2023年実績 140円/米ドル

2024年実績 151円/米ドル

2024年修正予想 151円/米ドル

1 コアEPSに対する配当性向。 ※コアEPS: その他の収益/費用とそれらに係る税金影響を控除した当期利益「コア当期利益」を元に算出したEPS

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

業績サマリーです。前年同期比で比べたものです。売上収益は 4,956 億円で、533 億円、12%の増収、コア営業利益は 954 億円で、マイナス 14 億円、1%の減益、当期利益は 599 億円で 213 億円、26%の減益となっております。

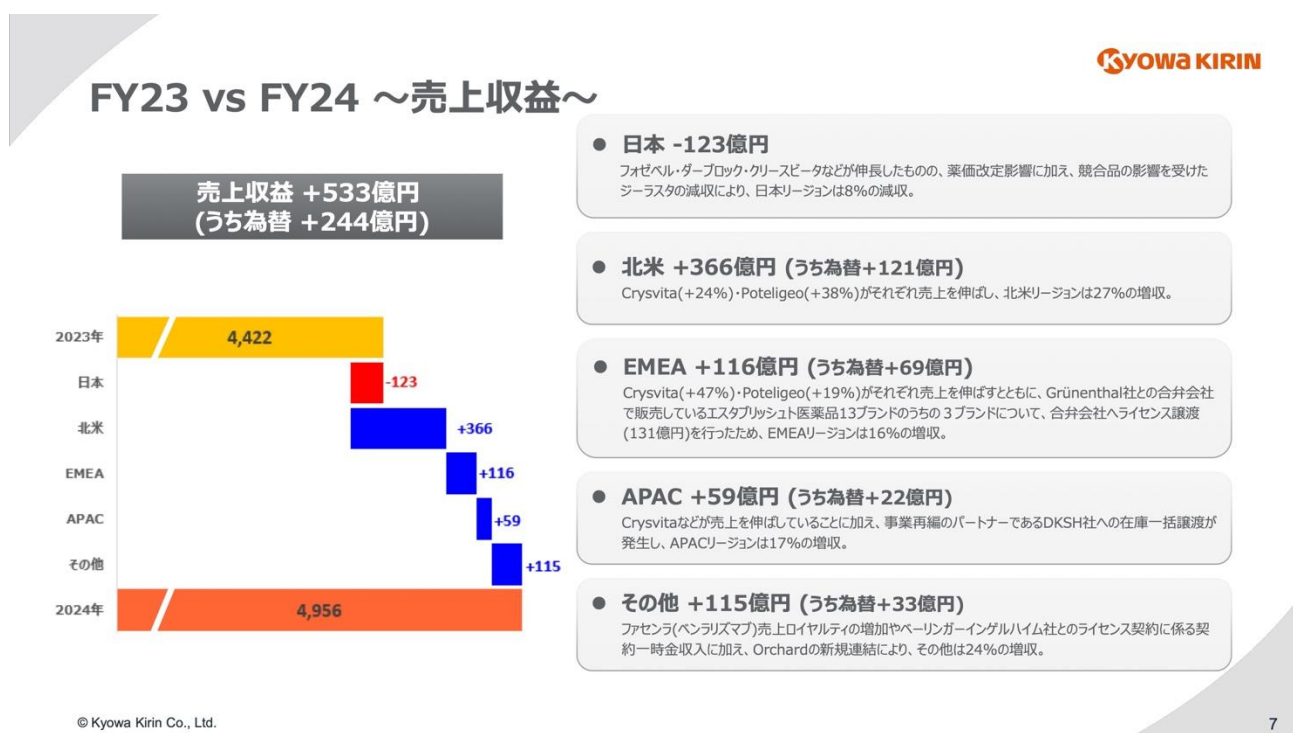
売上収益については、グローバル製品の伸長や技術収入の増加に加え、為替影響もあり 12%の増収となっております。

コア営業利益は、売上総利益が 319 億円増加しておりますが、KHK4083、rocatinlimab の開発進展や、Orchard の新規連結に伴い、研究開発費が 314 億円、44%と大幅に増加した影響が大きく、1%の減益となっております。

当期利益については、23年には欧州のエスタブリッシュト医薬品事業の合併化に伴う株式売却益、評価益148億円の計上があった反動と、24年には同事業の譲渡に関わるデリバティブ評価損などが発生し、26%の減益となっています。

第2四半期に修正した通期の修正予測に対する達成率は、売上収益、販管費及び一般管理費、研究開発費についてはほぼ計画どおりの進捗です。持分法投資損益に関しては少し上振れし、コア営業利益率は104%となっております。

当期利益は、先ほど申し上げた、欧州エスタブリッシュト医薬品事業譲渡に関わるデリバティブ評価損等の影響から、88%の達成率となります。



リージョン別の売上収益の対前年分析です。日本については、第3四半期までと傾向変は変わらず、8%の減収、北米はCrysvitaとPoteligeoの堅調な成長に加えて円安の影響もあり、27%の増収となっています。

EMEAについては、CrysvitaとPoteligeoがそれぞれ売上を伸ばしたことに加え、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ブランドの販売権について前倒しでライセンス譲渡を行ったことで、131億円の売上を計上した結果、16%の増収となっております。

アジアパシフィックは、Crysvita などが伸長したことに加えて、8 月に発表しておりますように、事業の再編に伴ってエスタブリッシュト医薬品の製品在庫のパートナーへの一括譲渡なども発生し、17%の増収となっております。

その他については、ファセンラのロイヤルティの増加や、ファーストクォーターでベーリンガーインゲルハイム社に導出した契約一時金の収入に加え、新規連結した Orchard 社の造血幹細胞遺伝子治療の売上収益の計上により、24%の増収となっております。

FY23 vs FY24 ～日本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年実績	2024年実績	前年比	増減要因	2024年修正予想*	達成率
クリスピータ	105	117	+12(+12%)	市場浸透(2019.12発売)	129	91%
ポテリジオ	19	18	-1(-5%)		19	95%
ネスブ+ネスブAG ¹	171	142	-29(-17%)		144	99%
ネスブ	32	26	-5(-16%)	薬価改定・競合品影響	28	96%
ネスブAG	140	116	-24(-17%)		117	99%
ダーブロック	99	127	+28(+28%)	市場浸透(2020.8発売)	122	104%
フォゼベル	-	47	+47(-%)	2024.2発売	33	141%
オルケディア	106	104	-2(-1%)		117	89%
ジーラスタ	319	205	-114(-36%)	競合品影響、新薬創出加算の返還	205	100%
リツキシマブBS	90	78	-12(-13%)	薬価改定	79	99%
ロミプレート	120	139	+20(+16%)	市場浸透	132	106%
ノウリアスト	76	69	-6(-8%)	競合品影響	71	98%
ハルロピ	45	46	+1(+3%)	市場浸透	52	89%

1. 正式名はダレベエチンアルファ注シリンジ「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。

FY23 vs FY24 ～海外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年実績	2024年実績	前年比	増減要因	2024年修正予想	達成率
Crysvita	1,420	1,848	+429 (+30%)		1,878	98%
北米	1,052	1,300	+248 (+24%)	市場浸透		
EMEA	351	515	+164 (+47%)			
APAC	16	33	+17 (104%)			
Poteligeo	284	381	+97 (+34%)		348	110%
北米	215	297	+83 (+38%)	市場浸透	251	119%
EMEA	69	82	+13 (+19%)		93	89%
APAC	0	1	+1 (- %)		5	32%
Libmeldy / Lenmeldy	-	33	+33 (- %)	Orchard新規連結 (2024.3 米国FDA承認)	49	67%
Nourianz	82	88	+5 (+6%)		91	96%
Nesp ¹	91	97	+6 (+7%)		107	91%
Gran ¹	69	54	-15 (-22%)	WinHealth社へ販売移管 (2024.9末)	72	76%
技術収入	407	478	+71 (+18%)		478	100%
ベンタリズム ロイヤリティ ²	274	314	+40 (+15%)	ペーリンガーイングルハイム導入一時金、 アセンラ伸長		

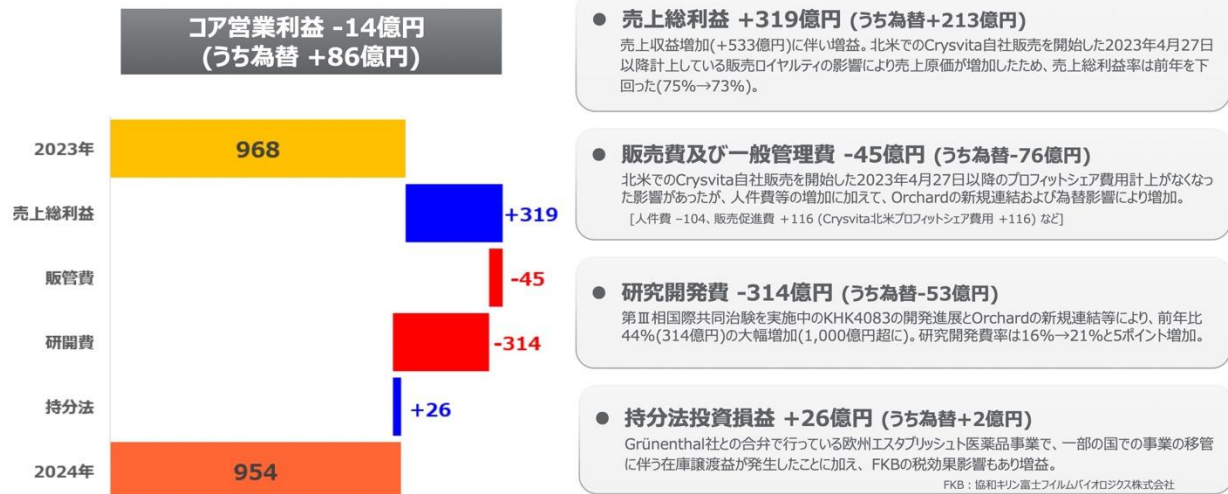
1. APAC事業再編(2024年10月)以降のパートナー(WinHealth社およびDKSH社)向け出荷は含めていません
2. AstraZeneca社が販売するアセンラの売上ロイヤリティ(当社独自の見積もりを含む)

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

9

主要アイテムの売上収益については、第3四半期までと大きくトレンド変わってないこともありますので、説明をスキップさせていただきます。

FY23 vs FY24 ～コア営業利益～



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

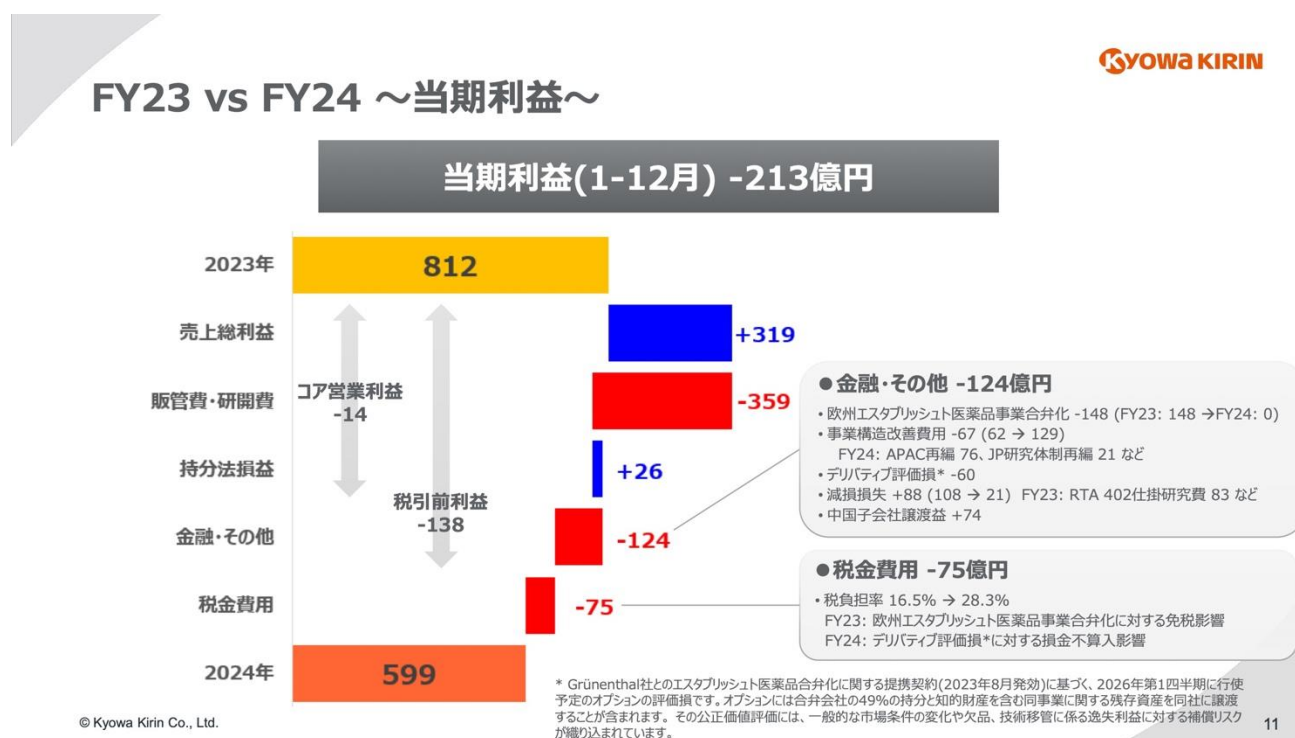
10

売上総利益は、売上収益の増加に伴い 319 億円、10%の増益となっています。販売費及び一般管理費は、人件費等の増加に加え、Orchard の新規連結と為替の影響により 45 億円、3%の増加となっております。

研究開発費は、rocatinlimab の開発進展や、Orchard の新規連結に伴い、前年同期比で 314 億円、44%の大幅増加となり、1,000 億円を上回る水準となりました。研究開発比率も、前年の 16%から 5 ポイント増加し、21%となったということです。

持分法投資利益は、26 億円増加しております。Grünenthal 社との合併で行っている、欧州のエスタブリッシュト医薬品事業で一部の国での販売移管による在庫譲渡に伴う利益が発生していることに加え、バイオシミラーの会社である FKB で繰延税金資産の計上があり、増益となったということです。

以上の結果から、コア営業利益は、前年同期と比較して 14 億円の減益となりました。



金融・その他は、124 億円減少しております。中国の子会社譲渡益 74 億円の計上がありました。が、前年に計上した欧州エスタブリッシュト医薬品事業の合併化に関わる株式売却益と評価益 148 億円がなくなったこと。

それから、同事業譲渡に関わるデリバティブ評価損 60 億の計上、それからアジアパシフィック再編等による事業構造改革費用の増加 67 億円などにより、対前年では大きなマイナスとなっております。

税金費用は、75 億円増加しております。これは、23 年は、繰り返し申し上げますように、エスタブリッシュト医薬品の事業合併化に対する免税の影響があり、税負担率が 16.5%と低かったの

ですが、24 年は裏返しで、デリバティブ評価損の影響などがあり、税負担率が 28.3%と高くなりました。

この結果、当期利益は、前年同期と比較して 213 億円、26%の減益となっております。

2025年の計画

UMNを満たす医薬品の提供

- 自社で注力する疾患領域における価値創出・提供
 - ✓ ziftomenibのAMLセカンドライン単剤治療の米国での承認申請およびファーストライン治療の臨床試験推進、KK2845の臨床試験推進
 - ✓ Crysvitaと同じ適応症のKK8123の臨床試験推進
 - ✓ 造血幹細胞遺伝子治療 OTL-203、OTL-201の臨床試験推進
- 戦略的パートナーリングによる価値創出・提供
 - ✓ rocatinlimabのアトピー性皮膚炎における米国承認申請・販売開始に向けた取り組み、喘息・結節性痒疹における臨床試験推進
 - ✓ KHK4951、KK4277、KK2260およびKK2269の臨床試験推進
- 画期的な医薬品の継続的創出
 - ✓ 細胞遺伝子治療研究開発能力の強化
 - ✓ 先進的抗体技術の研究加速 およびそれらを用いたパイプライン創出の継続

患者さんを中心においた医療ニーズへの対応

- 医療へのアクセス向上・医薬品にとどまらない新たな取り組み
 - ✓ Crysvita：XLH・TIO疾患啓発、患者支援プログラム、グローバルでのアクセス向上に向けた取り組みの継続
 - ✓ Poteligeo：エビデンスを用いた取り組み、Mycosis fungoides (MF) および Sezary syndrome (SS)患者さんアクセスの向上
 - ✓ Libmeldy/Lenmeldy：米国、欧州におけるMLD新生児スクリーニングの拡大に向けた活動の支援を継続
 - ✓ Patient Advocacy/Patient Engagement活動を通じた課題への対応
 - ✓ キリンホールディングス社との共同出資のベンチャーであるCowellInex株式会社での健康を取り巻く社会課題への取り組み

Life-changingな価値を実現する人材・基盤の強化

- 人材育成・組織力・デジタル基盤・その他
 - ✓ KABEGOE Principlesのタレントマネジメントサイクルへの組み込み、浸透・定着によるKABEGOE Culture醸成と人材育成の加速
 - ✓ CDXOの設置、DXを駆使したオペレーション変革による価値創造の加速

社会からの信頼獲得

- 製品の品質保証と安定供給
 - ✓ グローバルでの安定した生産体制・レジリエントな供給体制の構築
 - ✓ バイオ医薬原薬製造棟（HB7）稼働・新米国バイオ医薬品工場建設の着実な進展及びグローバル生産ネットワーク形成に向けた取り組みの推進
- 地球環境への負荷の低減
 - ✓ GHG排出量（Scope1,2）を2019年比63%削減
 - ✓ GHG排出量（Scope3）の削減の推進

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

続いて、25 年の計画です。

まず、定性側ですが、引き続き研究開発への積極的な投資を継続し、Story for Vision 2030 の戦略ストーリーに基づく取り組みを進めたいと考えております。

Kura 社と協働し、ziftomenib セカンドライン、米国承認申請に向けた準備を進めます。それから、rocatinlimab のアトピー性皮膚炎、米国承認申請に向けた臨床試験と上市準備を進めてまいります。

また、細胞遺伝子治療や研究開発力の強化、新抗体技術研究の加速など、画期的な医薬品の継続的な創出に向けた取り組みも推進してまいります。

患者さん中心においた医療ニーズへの対応では、Patient Advocacy/Patient Engagement 活動を通じ、グローバル戦略品の疾患領域を中心に、さらなる医薬品アクセス向上を目指してまいります。

社会からの信頼獲得においては、バイオ医薬原薬製造棟が稼働する高崎工場と、ただいま建設を開始したノースカロライナ工場によるグローバル体制のもとで、技術・人材のグローバルな循環を活性化し、われわれの強みであるバイオ医薬品生産のケイパビリティ向上を目指してまいります。

Life-changing な価値を実現する人材・基盤の強化は、昨年末に当社のグローバル戦略を力強く推進し、Life-changing バリューの継続的な創出を実現する人・組織のあり方を言語化した、KABEGOE Principles というものを策定しました。25 年は、この Principles の浸透・定着を通じ、KABEGOE カルチャー醸成と人材育成の加速を図りたいと考えております。

デジタルトランスフォーメーションは、この 4 月に、チーフデジタルトランスフォーメーションオフィサーを設置し、CDXO の強いリーダーシップのもと、DX を駆使して、オペレーション変革による価値創造の加速を目指したいと考えています。

FY25 業績予想サマリー

KYOWA KIRIN

(単位は億円、単位未満四捨五入)

	2023年 実績	2024年 実績	2025年 予想	増減
売上収益 [海外売上比率]	4,422 [65%]	4,956 [72%]	4,780 [70%]	-176 (-4%)
売上総利益 [売上総利益率]	3,310 [75%]	3,629 [73%]	3,520 [74%]	-109 (-3%)
販売費及び一般管理費 [販管費率]	1,631 [37%]	1,675 [34%]	1,660 [35%]	-15 (-1%)
研究開発費 [研究開発費率]	721 [16%]	1,035 [21%]	1,070 [22%]	+35 (+3%)
持分法投資損益	9	35	10	-25 (-72%)
コア営業利益 [コア営業利益率]	968 [22%]	954 [19%]	800 [17%]	-154 (-16%)
当期利益	812	599	570	-29 (-5%)
ROE	10.2%	7.1%	6.6%	
配当性向 ¹	35.5%	47.8%	50.3%	

1 コアEPSに対する配当性向。※コアEPS: その他の収益/費用とそれらに係る税金影響を控除した当期利益(コア当期利益)を元に算出したEPS

【為替情報】
2023年実績 140円/米ドル
2024年実績 151円/米ドル
2025年予想 145円/米ドル

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

14

業績の予測についてご紹介します。売上収益は 176 億円、4%減収の 4,780 億円を計画しています。

研究開発費は、35 億円増加させて 1,070 億円、研究開発比率も 22%となり、24 年に続いて積極的な投資を予定しております。

その結果、コア営業利益は 154 億円、16%減の 800 億円の見込みとしております。当期利益は 29 億円、5%減の 570 億円の見込みです。ROE については、6.6%と予測しております。

FY25 ～主要アイテム売上収益予想～

(単位は億円、単位未満四捨五入)

製品名など	2023年 実績	2024年 実績	2025年 予想	前年比	増減要因
Crysvita	1,524	1,966	2,102	+137 (+7%)	
日本	105	117	131	+13 (+11%)	
北米	1,052	1,300			市場浸透
EMEA	351	515	1,971	+123 (+7%)	
APAC	16	33			
Poteligeo	303	399	454	+55 (+14%)	
日本	19	18	19	+1 (+3%)	
北米	215	297	341	+43 (+15%)	市場浸透
EMEA	69	82	92	+10 (+12%)	
APAC	0	1	3	+2 (+98%)	
Libmeldy / Lenmeldy	-	33	69	+36 (+109%)	市場浸透 (2024.3 米国FDA承認)
フォゼベル	日本	47	89	+42 (+91%)	市場浸透(2024.2発売)
ダーブロック	日本	99	127	+28 (+22%)	市場浸透(2020.8発売)
ネスブ+ネスブAG ¹	日本	171	142	-27 (-19%)	薬価改定・競合品影響
ジーラスタ	日本	319	205	-35 (-17%)	薬価改定・競合品影響
ロミブレート	日本	120	139	+7 (+5%)	市場浸透
技術収入	419	488	523	+35 (+7%)	
ペンタリスマブ ロイヤリティ ²	274	314			ファセンラ伸長

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

1. 正式名はダルベチンアルファ注シリンジ「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。
2. AstraZeneca社が販売するファセンラの売上ロイヤリティ (当社独自の見積もりを含む)

15

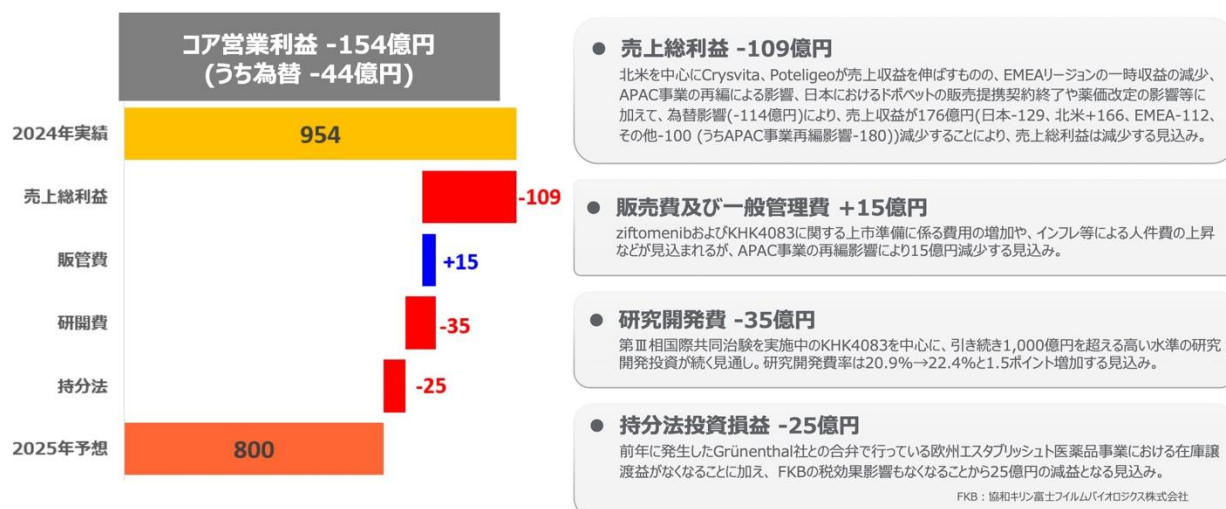
主要製品の計画です。これまで、日本と海外に分けてお示ししていましたが、一つにまとめてお示しすることとしました。グローバル戦略品についてはコマーシャルアップデートでご説明しますので、ここではその他の製品についてご説明します。

Libmeldy/Lenmeldy は、欧米合わせて 69 億円を目指します。昨年は、米国で患者さんはかなり見つかってはきているのですが、残念ながら、少し治療には時期が遅くなってしまっている患者さんが多かったという状況でした。今年に入り、1 月には既に 1 例ですが、米国で最初の患者さんに治療を行うことができいております。

フォゼベルは、昨年 2 月の発売以来、服薬負担を軽減するということで非常に好評いただいております、本年も大きく伸ばしたいと考えております。

技術収入は、為替が若干円高に振れるだろうことも予想しておりますが、引き続き、ファセンラの売上ロイヤリティ増加を見込んでいることになります。

FY24 vs FY25 ～コア営業利益～



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

16

次に、コア営業利益の増減を分解してご説明したいと思います。

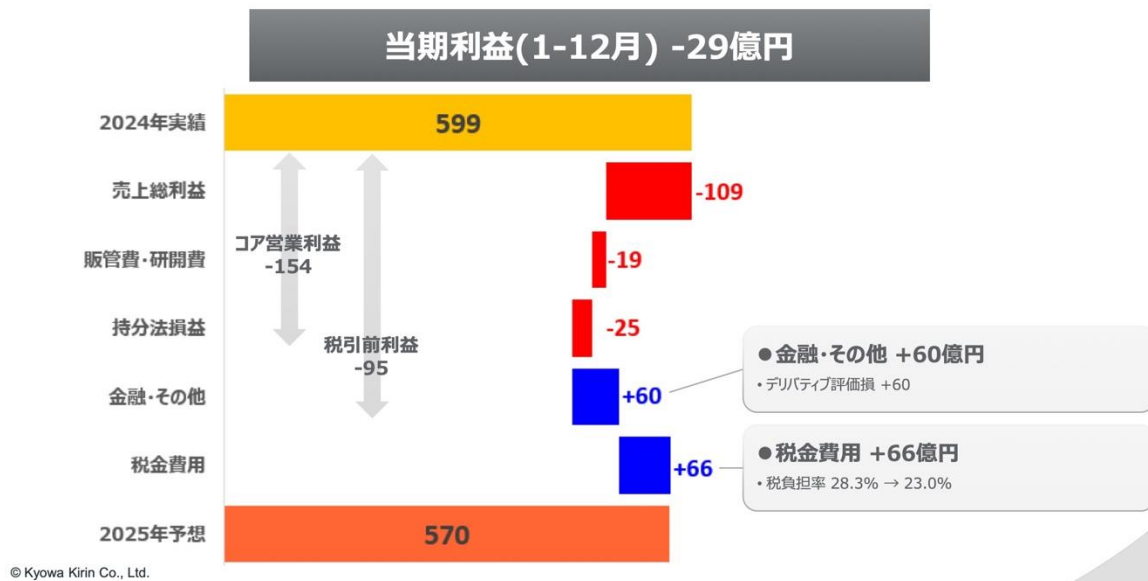
売上総利益は、売上収益の減少を受けて、109 億円の減少となる見込みです。北米を中心に、Crysvita、Poteligeo の伸長は見込んでおりますが、EMEA リージョンの一時収入の減少、アジアパシフィック事業の再編による影響、それから日本におけるドボベットの販売終了や薬価改定の影響、為替の影響等により、売上収益が減少すると予想しております。

販管費は、15 億円の減少となる見込みです。ziftomenib、それから rocatinlimab に関する上市準備費用の増加や、インフレ等による人件費の上昇などが見込まれますが、アジアパシフィック事業の再編影響等により、販管費合計では若干の減少を計画していることになります。

研究開発費は、rocatinlimab を中心に、引き続き 1,000 億円を超える高い水準の研究開発投資が続くということです。

持分法投資利益は、25 億円の減益になる見込みです。これらの結果、コア営業利益としては前年比マイナス 154 億円となる計画としています。

FY24 vs FY25 ～当期利益～



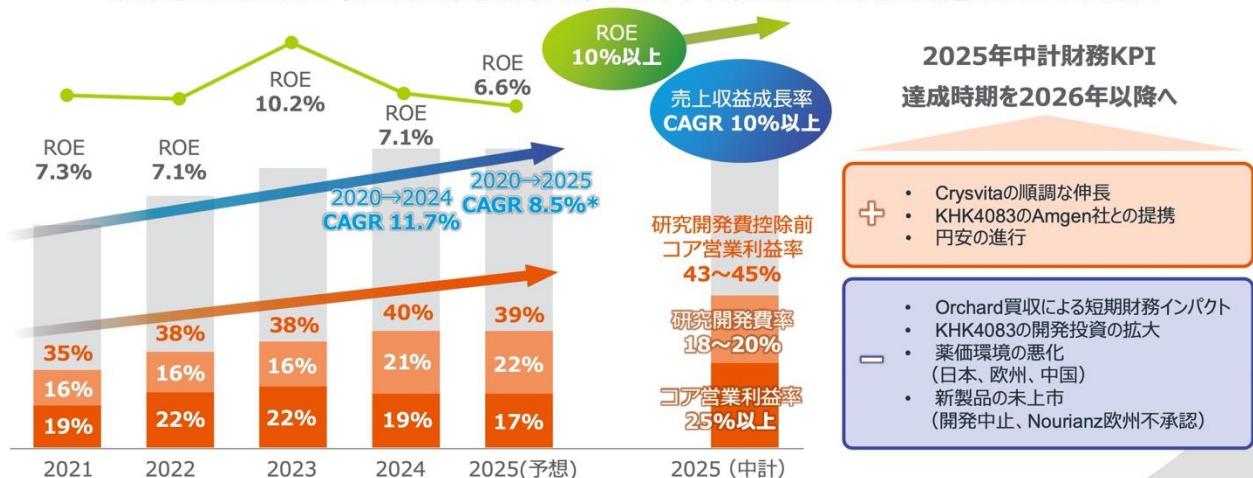
17

コア営業利益以下のところは、2025年は金融・その他、それから税金費用ともに減少することになります。金融・その他は60億円の利益増加の方向ですし、税金費用は、24年の税率負担が28%と高かったのですが、25年は23%と標準的な水準に戻ることから、66億円の利益増加方向にいくのではないかと予測します。

2021-2025年中期経営計画

2025年財務指標の見直し

- 2023年には過去最高益となりROE10%を達成したものの、2024年及び2025年は研究開発投資の拡大等もあり2025年中計財務KPIは未達の見込み
- 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



* APAC事業の再編により、顧客への直接販売からパートナーへの製品供給に切り替わったことによる減収影響180億円を加味した場合、CAGRは9.3%となります。

18

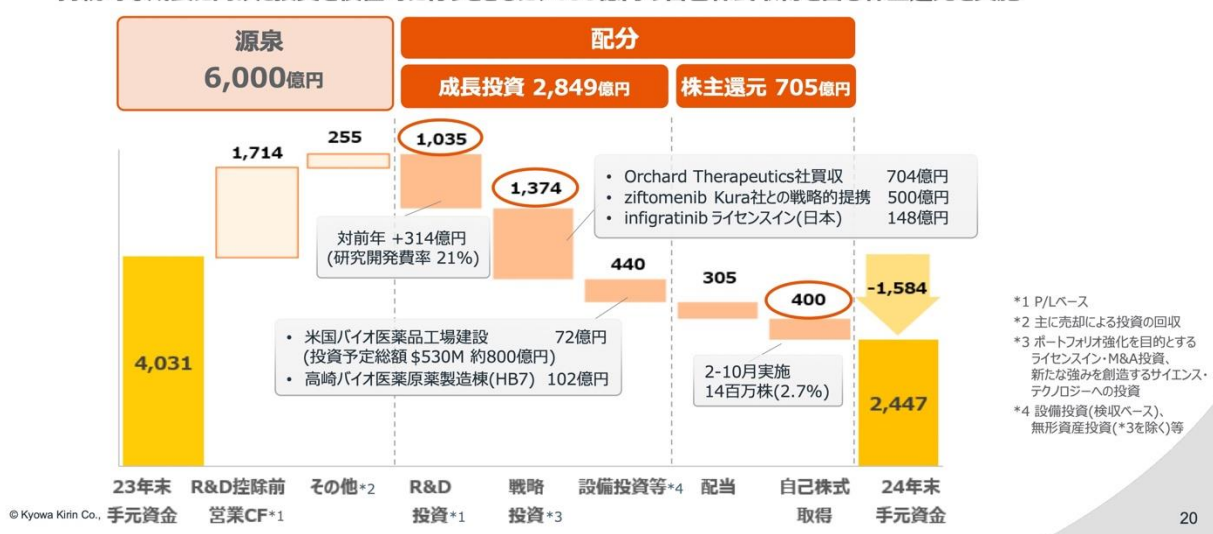
昨年2月に既にご説明しておりますとおり、2025年中計の財務KPIの達成については、残念ながら今年は達成できない見通しです。

2030年ビジョンを実現し、さらにその先まで見据えて成長を続けていくためには、ここで改革を力強く進めることが必要であり、それに加えて、一段踏み込んだR&D投資、成長投資も必要と判断し、このような見直しをさせていただいております。

2024年 キャピタルアロケーション実績

～持続的成長に向けた投資と株主還元の実進～

✓ Orchard Therapeutics社買収、ziftomenib等の戦略投資や、KHK4083等の研究開発投資の拡大など、持続的な成長に向けた投資を積極的に行うとともに、400億円の自己株式取得を含む株主還元を実施



キャピタルアロケーションと、株主還元についてご説明します。

昨年のキャピタルアロケーションをお示ししております。キャッシュは、2023年末の資金の高、4,031億円に当期の研究開発費控除前営業キャッシュフロー等合わせ、6,000億円の資金があったことになります。

24年は、Orchard社の買収、ziftomenibの導入を始めとする戦略投資に1,374億円を投じております。また、1,000億を超える研究開発投資を行うなど、合計で2,849億円の積極的な成長投資を行ったことになります。

株主還元についても、8期連続の増配に加え、過去最大となる400億円の自己株式取得も行いました。

これらの結果として、キャッシュは1,584億円減少し、2,447億円の手元資金残高となっております。

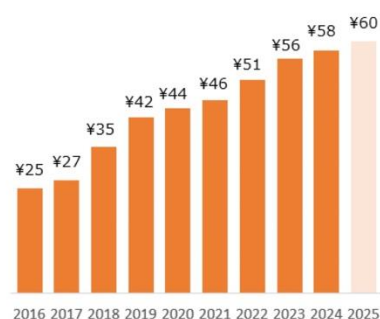
われわれの資本政策としては、持続的成長と企業価値最大化に向けた成長投資を最優先に置いており、2024年は積極的な成長投資と株主還元を実施したことになります。本年も、引き続き研究開発投資や戦略投資の成長投資を推進していきたいと思っております。



株主還元

- ✓ 2024年度年間配当は**58円**、2025年度年間配当は**60円** (予定)
- ✓ 2017年度以降、**9期にわたる連続増配**を予定
- ✓ 2021-2025年度の加重平均配当性向は**42.6%** (予定)
(中期経営計画における配当性向ガイダンス「40%を目処に継続増配」)

年度	年間配当金 (円/株)		配当性向 ^{*1}	ROE ^{*2}
	中間	期末		
2016	12.50	12.50	25.00	44.9%
2017	12.50	14.50	27.00	34.4%
2018	15.00	20.00	35.00	35.2%
2019 ^{*3}	20.00	22.00	42.00	33.7%
2020	22.00	22.00	44.00	50.3%
2021	23.00	23.00	46.00	43.2%
2022	24.00	27.00	51.00	38.9%
2023	27.00	29.00	56.00	35.5%
2024 ^{*4*}	29.00	29.00	58.00	47.8%
2025 (予定)	30.00	30.00	60.00	50.3%



^{*1} 2021年以降の配当性向は、コアEPS (その他の収益/費用とそれらに係る税金影響を控除した当期利益「コア当期利益」を元に算出したEPS) に対する配当性向

^{*2} Return On Equity: 自己資本当期利益率

^{*3} 2019年2月6日に自己株式10,700千株(226億円)を取得、2019年の総還元性向は67.3%

^{*4} 2024年2月~10月に自己株式14,366千株(400億円)を取得、2024年の総還元性向は109.6%

^{*5} 期末配当29円については、2025年3月19日開催予定の第102回定時株主総会に付議予定

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

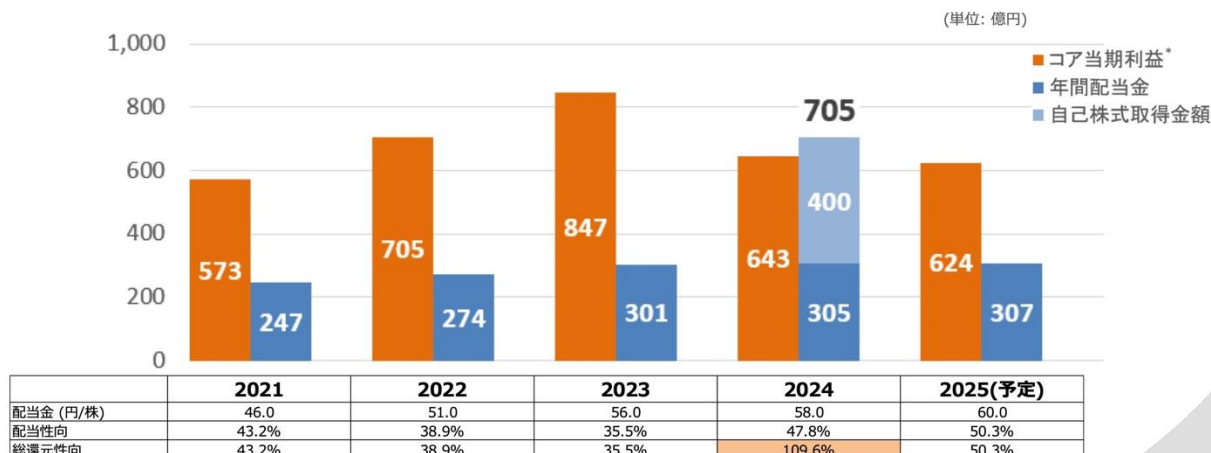
21

2024年の期末配当は29円とし、年間では前年比2円増配の58円とさせていただく予定にしております。

また、25年度については、9期連続増配となる2円増配の60円を予定しています。25年予想値を用いて算出した5カ年の加重平均配当性向は、42.6%となる見込みとなっております。

自己株式の取得及び消却

- ✓ 資本効率の向上と株主還元の拡充のため、2024年2月から10月までの期間において、過去最大の400億円（14百万株・2.7%）の自己株式の取得及び消却を実施
- ✓ 2024年の総還元性向は109.6%



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

*COA当期利益は、その他の収益/費用とそれらに係る税金影響を控除した当期利益。配当性向は、COA EPS（「COA当期利益」を元に算出したEPS）に対する配当性向

22

昨年2月から10月にかけて実施した、自己株式の取得及び消却です。今回の自己株式取得は、資本効率の向上と株主還元の拡充を目指したものであり、2月から10月にかけて、過去最大となる400億円、株式数にして1,400万株、2.7%になりますが、これを取得し、全株消却しております。この結果、配当と合わせた総還元性向は、109.6%となっております。



2024年振り返り・2025年キーアクション

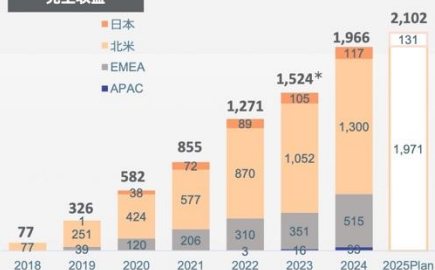
2024年振り返り

- 北米：+24%
新規患者数は成人を中心に年間を通じて高水準で推移。患者支援プログラムや薬局（スペシャリティファーマシー）との連携強化。
- EMEA：+47%
イギリスの成人XLHで保険償還開始。ドイツ、フランス、イギリス、イタリア、スペイン等での成人XLHの市場浸透。小児XLHも引き続き成長。
- 日本：+12%
専任担当者を中心とするプロモーション活動の強化。

2025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：プロモーション活動の強化、疾患啓発活動や患者支援プログラムを通じた更なる市場浸透。
- EMEA：引き続き、適応および上市国・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更なる強化、患者さん向け疾患啓発活動の強化。

売上収益

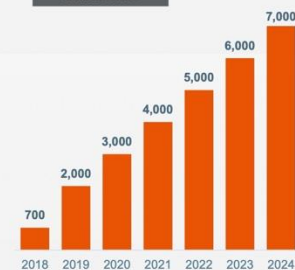


*EAP (Early Access Program) による収益は2022年度まで売上収益に含めず、2023年度以降は金額的に僅少になることから売上収益に含めていません。

上市国・地域数



治療患者数



*Ultragenyx社が売上計上するランダムアメリカおよびトルコは含みません。
*治療患者数は当社算定に基づく概数です。

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

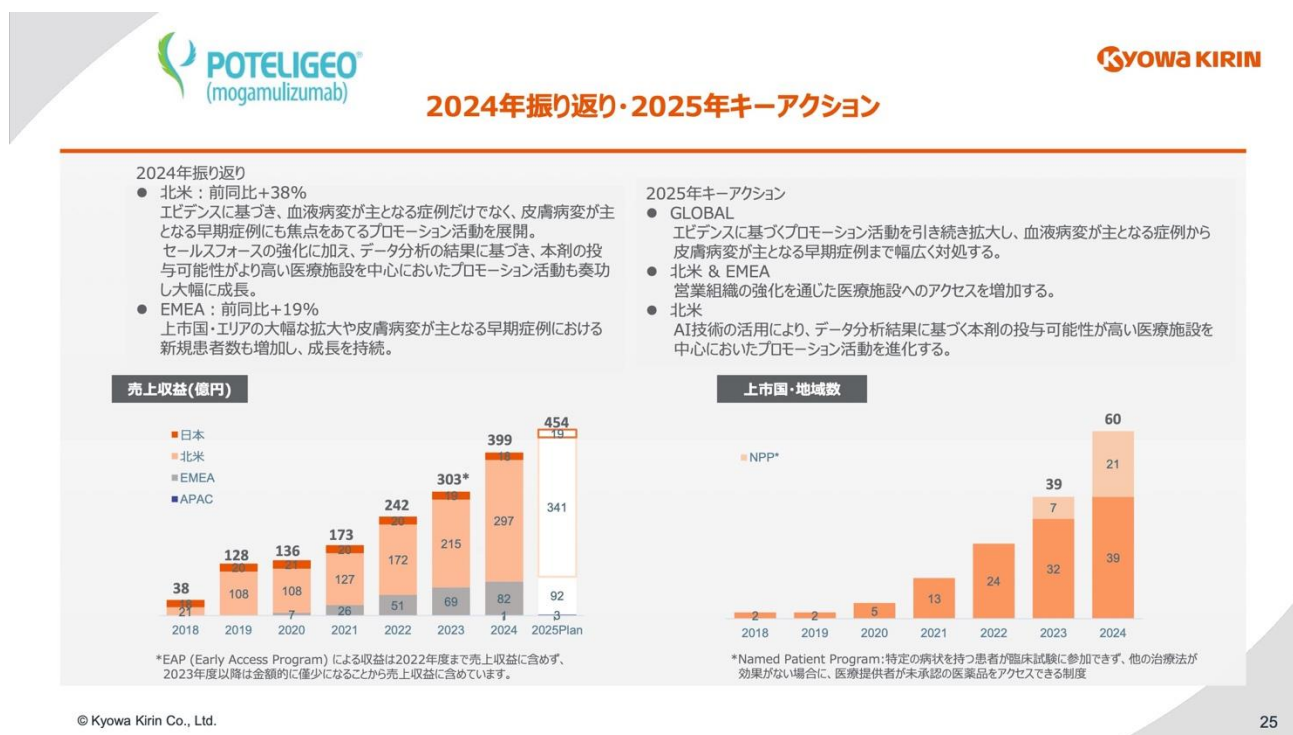
24

続いて、コマーシャルアップデートです。まず、Crysvita です。2024 年度は、約 7,000 人の患者さんにお届けすることができ、マーケットエリアも 25 年末で計画していた 50 を超え、52 まで拡大することができています。売上収益も、おおむね計画どおりの成長を達成し、為替の後押しも受け、大幅な増収となったと。

25 年の売上計画は、為替影響も鑑みて少し弱く見えますが、地域ごとにこれまでの取り組みを進化させ、引き続きの成長を目指していきたいと思っています。

北米においては、新規患者数が順調に推移しています。小児から成人への移行期を迎える患者さんに向けた疾患啓発の活動や、患者支援プログラムの強化に 25 年も取り組み、引き続きの成長を目指していきたいと思います。

欧州においては、2024 年にイギリスの成人 XLH で保険償還が開始され、既に上市した国・地域でも浸透が進んでいます。25 年も、引き続き市場浸透に取り組んでまいります。



続いて、Poteligeo です。Poteligeo も力強い成長を続けております。特に、北米ではエビデンスを活用したプロモーションを通じ、血液に腫瘍細胞が認められる患者さんへの浸透と、皮膚症状を呈する患者さんに対するアクセスを進めております。

また、データ分析に基づいて、より投与可能性の高い医療施設に重点を置いたプロモーション活動も力強い成長につながったと考えております。

欧州でも、地域的な拡大や疾患啓発活動を通じた患者さんへの浸透による成長を続けております。2025 年は、これまでの活動を進化させていくとともに、北米では今後、ziftomenib の上市も見据えて、AI 等を活用したデータ分析によるプロモーション活動の生産性向上にも着手し、引き続き成長を目指してまいります。

開発パイプライン ニュースフロー			
プロダクト	対象疾患	イベント	ステータス
rocatinlimab KHK4083/AMG 451	中等度から重症のアトピー性皮膚炎	ROCKET HORIZON (P3) 詳細データ発表予定	2025年上期
		ROCKET SHUTTLE (P3) トップラインデータ発表予定	2025年Q2
	結節性痒疹	P3	進行中
	中等度から重症の喘息	P2	進行中
ziftomenib	AML (1L併用/2L+併用)	KOMET-007 (P1a, P1b) P1aデータ学会発表	2024年12月
	AML (2L+単剤)	KOMET-001 P2セクション トップラインデータ開示	2025年2月
	AML (1L併用)	KOMET-017 (P3) 開始	2025年下期
OTL-203	ムコ多糖症I型 (Hurler症候群)	ヒポタル試験 (P3試験相当)	進行中
KK8398 infigratinib	軟骨無形成症	P3	準備中
KHK4951 tivozanib 点眼	糖尿病黄斑浮腫	P2	進行中
	滲出型加齢黄斑変性	P2	進行中
OTL-201	ムコ多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型)	PoC試験 (P1/2試験相当)	進行中
KK4277	SLE, CLE	P1	進行中
KK2260	進行性又は転移性固形がん	P1	進行中
KK2269	進行性又は転移性固形がん	P1	進行中
KK2845	AML	P1	進行中
KK8123	XLH	P1 開始	2024年11月

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

27

続いて、R&D のアップデートをご紹介します。前回の決算からの変更点を中心にご説明します。

まず、rocatinlimab です。アトピー性皮膚炎を対象としたフェーズ 3 試験、ROCKET プログラムについて、HORIZON 試験の詳細データ発表を今年上期、それから SHUTTLE 試験と試験のトップラインデータ発表を今年の第 2 四半期に予定しております。詳しくは、この後ご紹介します。

Ziftomenib は、昨年 12 月に、学会にて KOMET-007 試験のフェーズ 1a のデータを発表しております。また、昨日、セカンドライン単剤の KOMET-001 試験のフェーズ 2 セクションのトップラインデータを発表しております。また、ファーストライン併用の KOMET-017 試験は、今年下期に開始する予定としています。こちらも、詳しくは後ほどご紹介します。

infigratinib は、KK8398 という開発コードで、現在フェーズ 3 の試験を準備しております。

最後に、XLH を対象とする KK8123、フェーズ 1 試験が昨年 11 月に開始されております。

アトピー性皮膚炎 – 患者さんご家族に大きな負担をもたらす、慢性的かつ多様な病態を示す炎症性の皮膚疾患



- 慢性の炎症性疾患であり、炎症部位の皮膚は極度に乾燥して掻痒や痛みを伴う
- 掻破行為が繰り返されると、皮膚の肥厚、硬化、易感染状態を引き起こす
- アトピー性皮膚炎の臨床症状には複雑な免疫経路のネットワークが関与し、多種多様な重症度と分布を示す
- 中等度から重症では、睡眠、精神面、日常生活、生産性に悪影響を及ぼし、結果として社会活動に困難を生じ、QOL低下をもたらす



患者さんご家族に大きな負担 – アンメットメディカルニーズ

このような炎症性疾患は、「T細胞インバランス」が根本的な原因の一つと考えられている

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

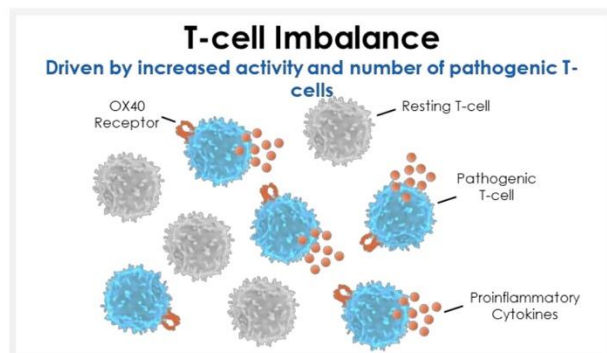
28

ここからは rocatinlimab を、スライドを使ってご説明したいと思います。対象疾患のアトピー性皮膚炎の症状とアンメットメディカルニーズについておさらいしたいと思います。

アトピー性皮膚炎は慢性の炎症性疾患であり、さらに炎症部位の皮膚の乾燥、掻痒、痛みなどに加え、さまざまな病態を示します。特に、中等度から重症の患者さんにおいては、睡眠や精神面などにも悪影響を及ぼし、社会生活に困難が伴い、QOL の低下ももたらします。

こういったことから、患者さんご自身、さらにはそのご家族に大きな負担が生じるアンメットメディカルニーズが存在しています。このような炎症性疾患は、これからご説明する、T細胞インバランスが疾患の根本的な原因の一つだと考えられています。

T細胞インバランス – 様々な炎症性疾患の根本原因の一つ



- アトピー性皮膚炎は、病原性T細胞の増加と活性化の亢進によって発生する**T細胞インバランス**が一因と考えられている
- **T細胞インバランス**は様々な炎症性疾患の根本原因の一つである

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

29

アトピー性皮膚炎は、病原性 T 細胞と呼ばれる免疫細胞が増殖し、その活性が異常に亢進されて発生する T 細胞のバランス異常、すなわち T 細胞インバランスが原因だと考えられています。この T 細胞インバランスは、さまざまな炎症性疾患の根本原因の一つだと言われております。

複数の病原性T細胞によるT細胞インバランスが、アトピー性皮膚炎の病態の慢性化と複雑性に寄与^{1,2}



病原性エフェクターT細胞によって放出されるサイトカインにより多様な病態を引き起こし、病原性メモリーT細胞が疾患の持続性と慢性化を促進すると考えられている^{1,3-5,8}

AD = atopic dermatitis. TH = T helper. *OX40はT細胞が活性化されると一過性に発現する受容体であり、そのリガンドであるOX40Lとは区別される¹. Fania L, et al. *Int J Mol Sci*. 2022;23:2684. 2. Sadrolashrafi K, et al. *Cells*. 2024;13(7):587. 3. Czarnowicki T, et al. *Allergy*. 2017;72:366-372. 4. Carlier TDB, et al. *J Autoimmun*. 2021;120:102634. 5. Croft M, et al. *Am J Clin Dermatol*. 2024;25(3):447-461. 6. Bissonnette R, et al. *J Clin Med*. 2023;12:3805. 7. Yew YK, et al. *J Am Acad Dermatol*. 2019;80:390-401. 8. Chen L, et al. *Cell Mol Immunol*. 2020;17:64-75.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

30

T細胞インバランスの発生メカニズムです。左上に書いてある、ナイーブT細胞が活性化されることにより、受容体分子であるOX40が細胞上に一過性に発現すると、このOX40を介した刺激を受けて、さまざまな病原性T細胞に分化していくことになります。

この中には、アトピー性皮膚炎の主要なプレーヤーであるTh2細胞を含む複数のエフェクターT細胞や、メモリーT細胞が含まれます。このような病原性T細胞が増殖し、活性化された状態がT細胞インバランスです。

このとき、エフェクターT細胞からさまざまなサイトカインが放出され、多様な病態を引き起こします。また、本来、免疫記憶を担うメモリーT細胞ですが、疾患の持続と慢性化も促進すると言われております。

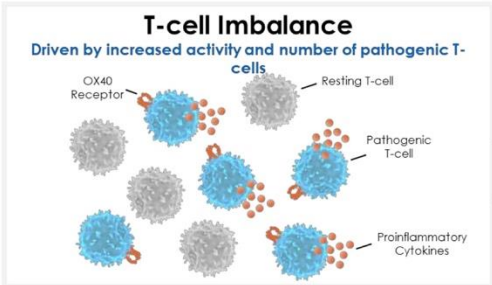
こうして、T細胞インバランスが発生し、アトピー性皮膚炎の多様な病態と慢性化に寄与していると考えられています。

KYOWA KIRIN

T細胞リバランス – 炎症性疾患の根本原因の改善により広範囲で持続的な治療効果を目指す

T-cell Imbalance

Driven by increased activity and number of pathogenic T-cells



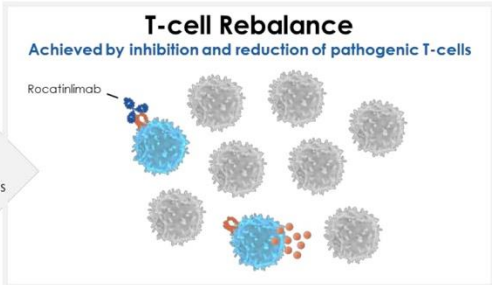
OX40 Receptor, Resting T-cell, Pathogenic T-cell, Proinflammatory Cytokines



Rocatinlimab
rebalances
pathogenic T-cells

T-cell Rebalance

Achieved by inhibition and reduction of pathogenic T-cells



Rocatinlimab

- ・ Rocatinlimabの「OX40を介して病原性T細胞を直接標的とする」というアプローチは新たな作用機序であり、炎症性疾患の根本原因である**T細胞インバランス**を改善できる可能性がある
- ・ rocatinlimabは、サイトカイン阻害剤や他のOX40経路阻害剤とは異なり、病原性T細胞の機能を抑制し減少させることで**T細胞リバランス**の実現を期待できる
- ・ rocatinlimabは炎症の慢性化に寄与するメモリーT細胞にも作用することで、**持続的な症状コントロールと疾患修飾を実現する可能性がある**

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

Rocatinlimabは現在開発中のプロダクトであり、この安全性と有効性はいずれの保健当局からの評価もなされていません

これに対して、rocatinlimab は、OX40 を介して病原性 T 細胞を直接標的とすることができる、これまでにない新たな作用機序を持っており、T細胞インバランスを改善できる可能性があると考えています。

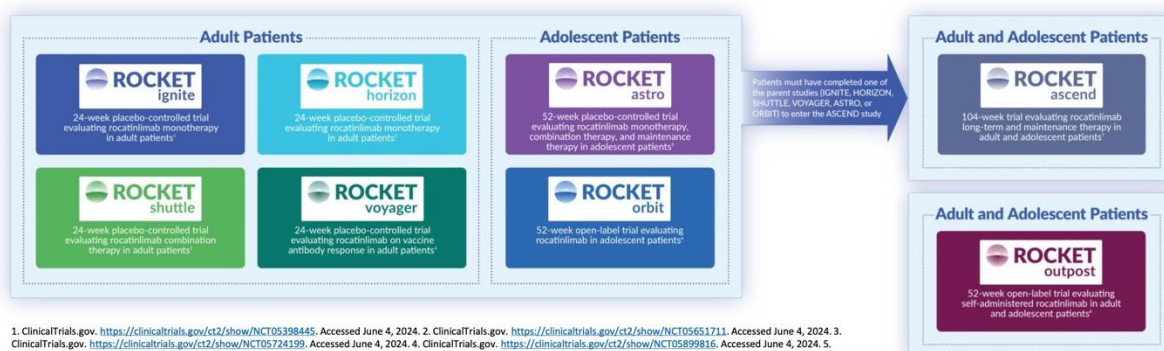
具体的には、サイトカイン阻害剤や他の OX40 経路阻害剤とは異なっており、病原性 T 細胞の機能を直接阻害し、減少させることで、T細胞のインバランスを是正する、T細胞リバランスを実現できると考えています。

さらに、炎症の慢性化に寄与するメモリーT細胞にも直接作用できるため、フェーズ 2b 試験で見られたような持続的な症状コントロールや、さらには疾患修飾を実現する可能性もあると考えております。

Rocatinlimab – P3試験 ROCKETプログラム

Kyowa KIRIN

- 成人及び青年における中等度から重症のアトピー性皮膚炎患者さんを対象とした、8つの試験からなる大規模なグローバル第3相試験プログラム
- これまでに3,300名以上の患者さんが試験に参加、そのうち7つの試験で被験者登録を終了
- 長期の安全性と持続的効果を検証するデザイン



1. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05398445>. Accessed June 4, 2024. 2. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05651711>. Accessed June 4, 2024. 3. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05724199>. Accessed June 4, 2024. 4. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05899816>. Accessed June 4, 2024. 5. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05704738>. Accessed June 4, 2024. 6. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05633355>. Accessed June 4, 2024. 7. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05882877>. Accessed June 4, 2024. 8. ClinicalTrials.gov. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06224192>. Accessed June 4, 2024.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

32

フェーズ 3、ROCKET プログラムの概要をあらためてお示しします。こちらは、成人及び青年における中等度から重症のアトピー性皮膚炎患者さんを対象とした、8つの試験からなる大規模なグローバル試験プログラムです。

これまでに、既に 3,300 名以上の患者さんにご参加いただいて、7つの試験で被験者登録が終了しています。この8つの試験からなるプログラム全体で、長期も含めた安全性・有効性と、持続的な効果を検証します。

Rocatinlimab – 今後の予定



2025年上期中に詳細データを発表予定



2025年Q2にトップラインデータ開示予定



※中間解析
2025年下期
データリードアウト予定

2025年/2026年の承認申請を目指して開発を進める

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

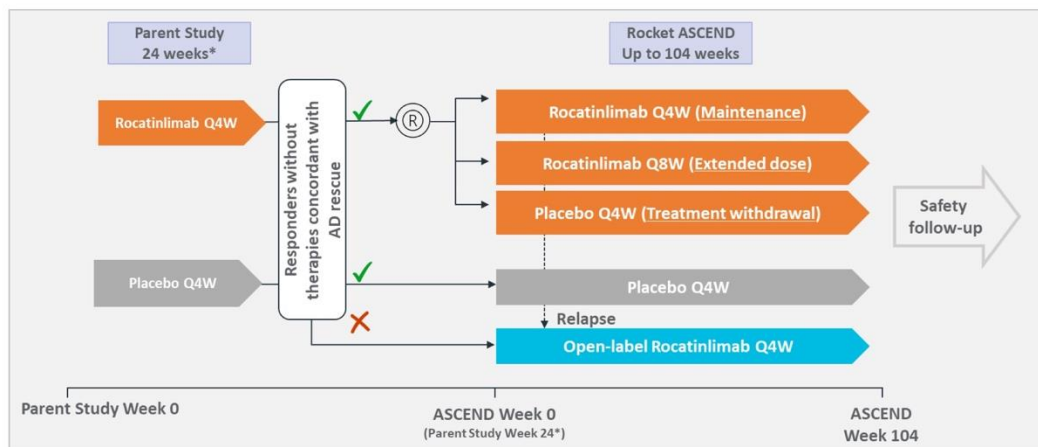
33

今後の予定です。昨年トップラインを発表した、ROCKET、HORIZON 試験に関しては、2025 年上期中に詳細データの発表を予定しております。

また、単剤の ROCKET IGNITE 試験、外用剤併用の ROCKET SHUTTLE 試験のトップラインデータは、本年第 2 四半期に発表予定です。

さらに、中長期の有効性・安全性を評価する ROCKET ASCEND 試験、青少年を対象とした ROCKET ASTRO 試験は、今年の下期にトップラインデータが出てくる予定にしております。現在、2025 年から 26 年の承認申請を目指して開発を進めております。

ROCKET ASCEND試験デザイン* – 単剤試験の成人被験者の場合



24週以降での安全性、有効性、および投薬中止後の効果持続性を検証するデザイン

* 上図は例としてHORIZON試験とIGNITE試験の2つの試験からASCEND試験に移行する患者さんの試験内容を図示。ASCEND試験のデザインの詳細についてはClinicalTrials.govを参照 (<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05882877>)

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

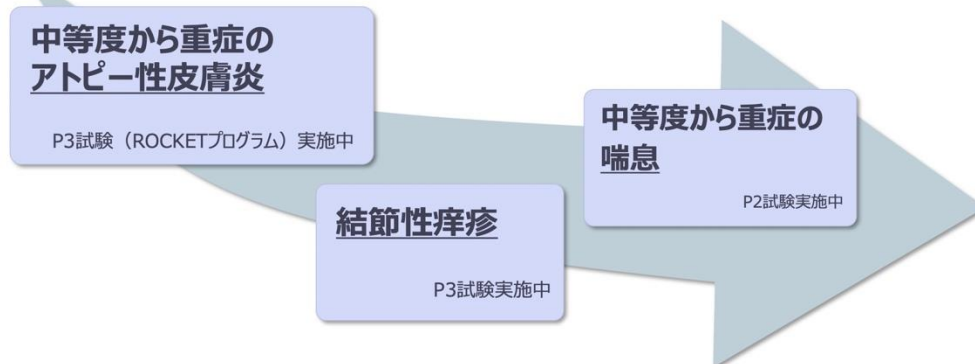
34

ROCKET ASCEND 試験のデザインについて、単剤試験の成人被験者の場合を例にとり、主にオレンジ部分で示した部分をご説明します。

他の試験を終了した患者さんが、この ASCEND 試験に参加します。このとき、rocatinlimab の 4 週に 1 回投与、8 週に 1 回投与、さらにはプラセボに切り替えた 4 週 1 回投与のコホートに無作為に割付されます。この中で、投与 24 週以降の安全性・有効性および投薬中止後の効果の持続性を検証するデザインとなっています。

抗OX40*抗体—様々な炎症性疾患への新たな治療選択肢を提案する

■「T細胞リバランス」が病態活動性の低下につながると考えられる疾患への適応拡大



今後も、より多くの患者さんにLife-changingな価値をお届けするための取り組みを継続する

* OX40はT細胞が活性化されると一過性に発現する受容体であり、そのリガンドであるOX40Lとは区別される

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

35

今後は、アトピー性皮膚炎の他にも、T細胞リバランスと病態の改善との関連性が示唆される疾患への適応拡大を進めます。

現在、結節性痒疹のフェーズ3試験、それから中等度から重症の喘息のフェーズ2試験を実施中で、さらなる可能性についても継続してアムジェンと追求してまいります。

Ziftomenib 概要説明

- 経口の選択的低分子メニン阻害剤
- 開発疾患：メニン依存性AML（NPM1遺伝子の変異およびKMT2A遺伝子の再構成）
 - AMLの症例の最大50%はメニン依存性と推測される（NPM1遺伝子変異やKMT2A遺伝子再構成を含む）
 - NPM1遺伝子変異は最も一般的なAMLの変異の一つで、メニン経路を経由するドライバー変異。症例の30%-35%で見られる
 - NPM1遺伝子変異を有するAMLは再発・難治性AMLにおいて予後不良であり、新規治療法の標的として注目を集めている
- 再発・難治性NPM1変異AMLの治療に対してFDAからBreakthrough Therapy指定を受けた唯一の試験薬
- 作用機序：メニンとKMT2A (MLL) の結合の阻害による、白血球芽球の分化誘導
- 2024年11月21日、米国Kura Oncology社と本プロダクトの開発・販売に関するライセンス契約を締結したことを発表

2025年Q2に再発難治性・NPM1変異AMLの承認申請をFDAに提出予定

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

36

ziftomenib は、経口の低分子メニン阻害剤で、開発適応の疾患は、NPM1 変異、または KMT2A 再構成を有する AML となっております。

昨年 11 月に、Kura 社とのライセンス契約を締結し、本年第 2 四半期に再発・難治性 NPM1 変異 AML を適応とする承認申請を予定しています。



ASH2024 発表内容概要 - KOMET-007 P1a (用量漸増試験)

■ 新規診断 (1L) 7+3 併用

- 有効性

	NPM1-m	KMT2A-r
ORR	100%	83%
MRD negativity	76%	75%

- 安全性 用量制限毒性やQTc延長、骨髄抑制増強は認められず 分化症候群は2% (Grade 3) で管理可能

■ R/R (2L+) ven+aza 併用

- 有効性

	NPM1-m (ven投与歴あり)
ORR	68% (50%)
CRc	50% (36%)

- 安全性 用量制限毒性やQTc延長は認められず 分化症候群は8% (Grade 2又は3) で管理可能

良好な忍容性と高い有効性の両立が確認された

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

37

昨年末の ASH での発表内容の概要です。併用試験である KOMET-007 試験の結果です。ファーストラインでは良好な有効性を示し、安全性にも問題は認められませんでした。

セカンドラインにおいても、安全性に特段の問題がなく、有効性も従来の治療と比較し、上乘せ効果が確認され、全体として良好な忍容性と高い有効性の両立を確認しております。

KOMET-001試験 P2試験結果

- 対象疾患：再発難治性NPM1変異AML
- 結果：主要評価項目（CR¹およびCRh²）を達成、安全性と忍容性はこれまで報告されている結果と一致
- より詳細なデータは2025年Q2にて学会発表を予定

今後の予定

- 2L+ 単剤：2025年Q2に承認申請
- 1L 併用：2025年下期にP3試験 KOMET-017を開始予定
 - KOMET-017-IC と KOMET-017-NIC の2つの試験で構成³
 - ランダム化プラセボ対照試験（ziftomenib+標準治療 vs プラセボ+標準治療）

1.完全寛解; 2. 部分的血液学的回復を伴う完全寛解; 2. IC = intensive combination, NIC = non-intensive combination.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

38

加えて、昨日発表した、セカンドライン単剤の KOMET-001 のフェーズ 2 試験の結果です。結論としては、主要評価項目を達成し、安全性と忍容性は、これまで報告されている結果と一致したことになります。詳細データは、本年のセカンドクォーターの学会で発表する予定としております。

最後に、ziftomenib の今後の予定です。セカンドラインの単剤については、セカンドクォーターに承認の申請を行い、最速であればですが、2025 年中の承認取得ができるのではないかとということで、それを目指して活動しております。

さらに、ファーストラインの併用は、今年の下期にフェーズ 3 試験、KOMET-017 試験を開始する予定です。この試験は、スライドのように、intensive combination セラピーと、non-intensive combination の二つの用法との併用試験で構成される、ランダム化のプラセボ対照試験となっております。

HSC-GT : OTL-203開発進捗



対象疾患：MPS-IH（Hurler症候群） - Disease snapshot

- 多臓器性の神経代謝疾患で、認知、成長、骨格機能に影響を及ぼす
- 生後2年以内に診断され、平均余命は10年
- 現在の標準治療：同種造血幹細胞移植（Allogeneic HSCT）、ブロッジ療法または長期治療として酵素補充療法（ERT） しかしいずれの治療法も懸念点が存在
- 発症率：出生10万人あたり約1人；Hurler症候群が60%を占める¹
- 一部地域（米国など）で新生児スクリーニングが確立されている



Engl J Med 2021; 385:1929-1940 DOI: 10.1056/NEJMoa2106596

ピボタル試験（P3相当）HURCULES試験 進捗

- 試験概要：MPS-IH患者におけるOTL-203の有効性と安全性を、同種造血幹細胞移植（HSCT）による標準治療と比較して評価する多施設無作為化アクティブ対照臨床試験
- 計画以上のスピードで被験者登録が進み、登録完了間近
- **MPS-IHにおける喫緊のUnmet Medical Needsが存在**
- 治療後2年時に測定される主要評価項目を解析した後、データが良好であれば当局への承認申請に使用
- **現在の申請予定は2028年、優先審査を想定した場合は2029年に承認の可能性**

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

¹Beck et al. The Natural History of MPS I: Global Perspectives from the MPS I Registry. *Genetics in Medicine* 2014, 16(10), 759

39

最後に、hematopoietic stem cell gene therapy について、OTL-203 の開発進捗をお伝えしたいと思います。

対象疾患は、希少疾患である MPS-IH で、現在複数の治療法が存在しておりますが、それぞれ懸念点があり、新しい治療法への期待が大きい病気です。

現在は、ピボタル試験になる HURCULES 試験を実施中で、この被験登録者が想定した以上のスピードで非常に早く進んでおり、登録完了が間近となっております。MPS-IH において、喫緊のアンメットメディカルニーズの存在があることが、この事情からもわかることになります。

本試験では、治療後2年経過時に測定される主要評価項目を分析した後、データが良好であれば、当局への承認申請に向かうことになります。現在の承認申請予定は2028年、優先審査を想定すればですが、2029年には承認が得られるのではないかと考えています。

40 ページ以降に、昨年の年初来のニュースを掲載しております。44 ページ以降には、前回発表時点からアップデートしたニュースを掲載しています。

詳細の説明は割愛しますが、当社ビジネスを着実に成長させながら、中長期の成長戦略に基づいて、研究・生産・販売などの機能や、それを支える人材、DXの基盤について、グループ全体でグローバルに取り組みを進めてまいります。

2025 年は、新たに CEO、COO 体制への移行を予定していますが、新体制においてもビジョン実現に向けた取り組みを前進させてまいります。

ご説明は以上になります。

質疑応答

中村 [M]：これより、全体質疑応答に移ります。

山口 [Q]：シティの山口と申します。今日はよろしくお願いします。

一つ目の質問、会社予想の 800 億円は、前期の実績の 954 億円には、結構いろいろな特殊な部分があって全部調整すると訳がわからなくなるのはよくわかるのですが、それを除いたベースで、実質的には今期の 800 億は、実力でいうとどうなっているのかが外部的にはわかりにくいところがあるので、それを最初に教えていただけますか。

川口 [A]：今期の 800 億円という予想のところですね、山口さんがおっしゃるとおり、いろいろな要因が入っていて、私も実力ベースはなかなか申し上げにくいところはあるのですが、特殊要因として、まず一番目は、皆さんご存知のとおり、今年、EMEA における一時収益ですね、こちらが 3 ブランドの譲渡で 131 億円。それから、Tostran のマイルストンの収入が 16 億円ありましたので、ここで 147 億円の特殊要因だったと。

これに対し、今期は一つのブランドの譲渡は予定しておりますが、3 ブランドに対しての一つというぐらいの規模感ですので、少なくとも 100 億レベルに近い減収減益要因があったと、これが一番大きな要因です。

それから、APAC リージョンですね、こちらの事業譲渡に関しては、全体としては売上は大きく下がりますが、利益的には微減という今回のスキームだったのですが、2024 年対比になると、24 年に再編によって利益的なプラス要因になってしまったと。なってしまったという言い方はよくないのですが、売上に関しては、10 月以降、新しいスキームに入り、今持っていた在庫を販売したことによって、むしろ計画よりも 10 億円規模で上回る結果になったということですね。それに対して 10 月以降の経費がかなり減ったと、24 年ですね、そこが 30～40 億円ありました。

それに対して、今期は売上がスタートから減っている、経費も減っているベースで、経費の減少に関しては 9 カ月の効果しかないところで、前年対比で見ますと、こちらの一つの大きな減益要因になってしまったと。これが特殊要因としてあるところです。

それから、こちらは特殊要因と言えるかどうかがありますが、ドボベットの販売提携を昨年末に終了したことで、売上で 79 億円、利益的には非公表ですが、こちらの影響があったところが一番大きな影響です。

それから、もう1点は為替の水準です。現状の為替からすると少し保守的とも言えるのですが、145円で見えており、こちらの影響が売上で114億円、利益で44億円の影響があると、こういった影響を除いていただければ、実質的なところが見えてくるかなということです。

山口 [Q]：二つ目の質問が、Kuraのトップラインのところですよ。しれっとリリースを出しただけなので、それ以上わからないといえば、わからないです。

Kuraの株価が下がったり上がったりしていて、御社としてはどうなのでしょう、事前に設定されていたものに対していいのか悪いのかを含めて、何かコメントできることがあればありがたいです。学会の発表を待てということなのかもしれないですが、何か教えていただけるとありがたいです。

宮本 [A]：細かくは、山下から後ほど、何かあればですけども。

会社全体としては、データ自体は予定どおりというか、コンフィデンスを持って前に進めるデータだったよねと考えております。詳細は学会までお待ちくださいということで、何か細かい追加はありますか。

山下 [A]：内容としては、十分期待通りの結果で成功していると、今回のその成功したことをお伝えしています。これは小さな試験ですし、このデータを開示してしまうと、もう中身が大体わかってしまうということで、学会でしっかりとご報告していきたいといったところです。そういったところでも待って、今回の発表は控えさせていただいている、限定的にさせていただいていることになっております。ご理解いただけると幸いです。

山口 [Q]：これ発表は、Q2なので、ASCOですかね。

山下 [A]：まだ、そこも開示しておりません。

山口 [M]：開示していない。わかりました。ありがとうございます。

若尾 [Q]：JPモルガンの若尾です。よろしくお願いします。

今期のご計画、営業利益800億円についてです。今のご説明で、結局一次要因が昨年度あったということで、昨年度の利益水準と単純に比較することはできないと思いますが、一方で、この数字を見て、株価も下がっていますし、株式市場にはインパクトがあったと思うのです。

こういう数字を出せばこうなるのはある程度わかると思うので、この数字を作る上で、合理化がどの程度行われたか。今回のご説明ですと、成長投資も必要なので、合理化した上でのこういった数

字なのかなとも思うのですが、その合理化の取り組みがどう行われてこういう数字になったのかことを知りたいのと。

合理化した上でこういった構造ならば、しばらく利益水準は、来期、再来期を見てもあまり変わらないのではないかなと思ったのですが、この見方についてもコメントいただけないでしょうか。

宮本 [A]：宮本からまず全体ご説明して、何か追加があれば川口からご説明します。

おっしゃるとおりで、先ほどプレゼンの中でも少し触れましたが、ここ、ビジョンの達成、さらにはその先の成長に向けて改革をいろいろ進めています。最初にスタートしたのは、ヨーロッパのエスタブリッシュトメディスンの切り離しで、去年はアジアパシフィックの事業の再編と、それから低分子を縮小し、新しいモダリティ側にいこうという合理化ですね、ある意味やっています。

そういった面では、まだまだ合理化というか、筋肉質にしていく取り組みは終わっていないくて、もうこれは多分ずっと継続するものなのかなというところもありますので、ここはしっかりやっています。

ただ、それをやることによる特殊要因がいろいろ出てきていて、見えにくくなったり、特損が出たりする部分もありますので、その辺はご理解いただくしかないかなと思っています。それをベースに、よりグローバルに向けて成長できる会社としていくために余力を持つ、それから投資余力も持つことで進めていきたいと思っています。

ですので、確かにおっしゃるとおりで、今年、それから来年はまだこれからになり、非常に利益がV字回復していくかはこれからですが、ただ、ある程度の中期的な見方で見れば、社内ではかなり利益水準を上げられる形が整ってきていると考えています。

今年も、例えばDXに関しては、今年からグローバルで全社的な取り組みをするためにかなり力を入れますので、その分、若干そちらは投資が増えるし、少し何か削っていくものもあるだろうと思っています。

そういったことで、より効率性を上げる取り組みもしますし、パイプラインのポートフォリオも精査し、われわれの成長に資するものには積極的に投資する、そうでないものは劣後させていくというのは、峻別をこれからしていくフェーズになっていくのかなとは思っています。

ですので、中期的、長期的に見ていただければ、もちろんこれはR&Dが入っていますので、確実ではないのですが、一定程度うまくいけば、これは間違いなく成長軌道に乗ることができる、しかもグローバルでということを、成長ストーリーの中に入れ、それにしたがって今、粛々とやっています。

川口さん、何かありますか。

川口 [A]：今、申し上げたとおり、われわれが目指しているところは、2030 年のストーリーを発表したことによって、もう明確にフォーカスしていく領域と、そうではない、パートナーと協力していく領域を分けたので、フォーカスしていく領域にしっかり投資するためには、リソースのシフトがいるというところで、先ほど申し上げたことが起きていると。

今期に関してもある程度、計画できるものについては一定程度入っていますが、まだいろいろな事情があって折り込めない部分もあるということです。今後の収益の成長性に関しては、私から確実に言えることは、2030 年に向けて、先ほどのキャピタルアロケーションでお示ししたとおり、しっかりとここに向けて投資していると。

その影響で、短期利益が少し犠牲になっている部分があると、ここはもう否めないと思います。ただ、ここも犠牲になると言っても、利益水準が下がってもいいわけではありませんので、できるだけそこにコスト削減的なところもしっかり入れながらということのバランスを取ってやっていますが、フォーカスとしては、2030 年以降がしっかり成長できる姿がだんだん見えてきているのが現状かなと。

昨年は減損等があって、少しわれわれ自身も心配な部分があったのですが、そこに対して、2030 年に向けた投資が着実にこの 2024 年は進んだかなというところで、2030 年の姿については、われわれはかなり自信が増してきている状況と、そこはご理解いただければと思います。

若尾 [Q]：二つ目は、このキャピタルアロケーションについてです。キャピタルアロケーションとその株主還元という点で、両方、昨年度実施されたということで、今の社長のご説明で、今期は事業投資に向けていきますよと。株主還元という言葉がなかったので、そこについて理解したいです。

引き続き成長投資はされると思うのですが、今期は株主還元よりもその成長投資によりシフトするということだったのか。まずは成長投資をした上で、また株主還元をされるという意図なのか、ここを知りたいのと。

成長投資という観点では、Orchard や ziftomenib などが拡充していると思います。2030 年に向けて、あと何が必要なのか、そこについてもコメントいただけると助かります。

宮本 [A]：第一優先は、成長投資だと考えております。ですので、そこにまずはフォーカスしたいところです。もちろん、例えばシェアバイバックに関して言うと、例えば株価の状況や、そのキャ

ッシュの状況を見て、これは機動的にやろうと、いつも川口とは話していますので、絶対やらないというわけでもないですし、絶対やるとも言えないと、両方ですが、というところがあります。

それから、2030 年に向けてさらにやらなくてはいけないことは、先ほども申し上げたように、若尾さんからご指摘のあった、より筋肉質にする部分はまだ残っていると考えております。これは、グローバルでどういうシチュエーションが一番いいのかをやらなくてはいけないですし、30 年成長に向けては、研究開発投資、それから生産のケイパビリティを上げる側ですね、この辺が必要だろうと思います。

それから、開発ポートフォリオの見直しの状況によっては、さらに大きなライセンスインなど、そういったことも機動的に考えていく、これは全て、先ほど川口も申し上げた、成長ストーリーに乗かって、この辺は柔軟にいろいろなことを考えながらやっていこうということです。いずれにしても、成長投資が一番だと考えています。

橋口 [Q]：大和証券の橋口と申します。

その筋肉質の体制にしていくにあたって、あとどういうところがまだ課題として残っていると考えるのか。私なりの受け止めとしては、日本事業のあり方のあらためて定義づけが必要なのかもしれないと思っています。

APAC や EMEA でやられたような製品ポートフォリオを大胆に変えていく取り組みのような可能性も考えているのか。それについて教えていただければと思います。

宮本 [A]：おっしゃるとおりで、昨年、数字を見ていただければわかりますが、日本は売上高でももう 3 割ぐらいですので、日本の事業は今までどおりにはできないよねというのは当然みんな考えていることです。

何もまだ具体的に決まっているものはないですが、この日本事業をどうしていくかは、これからのポートフォリオ、パイプラインを見た上でもシフトは必要なのだろうとは考えておりますので、ここはおっしゃるとおりで、まだまだやるべきことが多いだろうと考えます。

橋口 [Q]：そういったことによって、費用が一定程度、特損のような形で出る可能性がありますと先ほどおっしゃっていたと思うのですが、そうしたその日本事業に関連したものは今回のご計画には何らか入っているのでしょうか。

宮本 [A]：先ほど申し上げたとおりで、具体的に決まっているものはないので、特にこれだとターゲットして、今回の計画に入れているものはないです。

橋口 [Q]：日本本事業に限らず？

宮本 [A]：全般的にまだ、他にもやることあるよねの中で、一定程度の見積もりは入れています
が、何か具体的な案として、これを日本でターゲットとして入れている感じでは組み込めていない
と思います。

橋口 [Q]：もう 1 点、Lenmeldy の US での状況は、前期は結果的に 1 例も治療できませんでした
ということなのですが、買収されたときの想定と何が変わっているのか。想定どおりですというこ
となのかもしれませんが、ここまでの進捗をどう振り返っていて、改善できる点があるとするなら
ばどういった点にあるとお考えかお聞かせいただけますか。

宮本 [A]：買収したとき、それから確か 4 月ですが、昨年に FDA で承認が取れて、それなりにい
い値段もつけられるのではないかと、しかも患者さんは結構いるのではないかと期待して、実は昨
年中に何例かは治療できるかなと考えておりました。残念ながら、昨年は、見つかった患者さん
は、この治療法に対しては既に症状が進んでいて、フィージブルではない患者さんがかなり見つ
かったということで、治療できなかったということです。

ですので、今これはもうずっと実は活動していますが、いかに生まれた新生児を早くスクリーニ
ングして、症状が見つかる前、できれば、患者さんをアイデンティファイして、トリートするかに持
っていくことが一番大事なのですけれども。

今、見つかっている患者さんは、かなり多くの方がご兄弟の年上の方がその病気を持っていて、2
番目、3 番目の子供も心配なので、症状が出る前に見てみよう、見たら残念ながらということで
見つかって、トリートに入っている方がかなり多いですね。

ですので、新生児スクリーニングが大事かなと思います。例えば、アメリカは確かイリノイが一
つだけですが、州として新生児スクリーニングの中に MLD が入っているので、これをアメリカでし
たら、アメリカで、フェデラルでリコメンデーションいただこうとして今、活動しています。フェ
デラルでリコメンデーションが出ると州ごとに、では、ということでカバーできるようになると思
いますので、その活動を続け、州ごとに始まれば、より患者さんが多く見つかるのだらうと思いま
す。

いずれにしても、今年は幸いというか、患者さんが見つかったことがいいことかわからないです
が、事業的には幸い 1 月に既に 1 例入っておりますので、そういうなるべく早く見つける活動を続
けながら、なるべく助けてあげられる患者さんを多くしたいと思っています。

橋口 [Q]：病気はヨーロッパもアメリカも基本的には同じだと思うのですが、ヨーロッパである程
度経験を積んでアメリカに入っていっちゃった中で、ヨーロッパと違った点はこういったことが
あるのでしょうか。

マリック [A]*：欧州での事業という意味では、もちろん歴史が少し長くて 2022 年に承認が下りております。ですから、その確立された治療として承認を受けていて、そういった意味で患者さんを特定するネットワークが、欧州には既に出来上がっています。そういった意味で、欧州では既にこの治療に関しての弾みがついているかと思いますが、米国でもそのような兆しが見えてきているかと思います。

一つの例ですが、欧州では 6 施設、この認証を受け、資格のある施設があります。認定を受けた施設があります。また、年末までに米国でも 5 施設認定を受けた施設が存在します。そして、それに合わせて、この新生児スクリーニングに関しての申請も行っておりますので、そのわれわれの申請に対し、より肯定的な意見が受けられることを期待しております。

そのような賛同する意見がいただければ、その新生児で特定していくことが、これからルーチンのように展開されていくのではないかと思います。そういった意味で、この事業の展望はまだ明るいと言えると思います。

もう一つコメントさせていただきたいのですが、MPS-I、ハーラー症候群のほうで、こちらの HURCULES 試験に関して宮本から先ほど説明がありました。この MPS-I の新生児に対するスクリーニングは、アメリカでは現在、この審議をされているところです。そして、現在、われわれが行っている治験の患者さんの登録に関しても、それに向けて行っているところです。

ですから、今説明したような内容が、このわれわれのビジネスモデルに対しての追い風になっていると受け取っていただければと思います。

橋口 [M]：ありがとうございました。

酒井 [Q]：UBS 証券の酒井といいます。開発について二つお聞きしたいです。

まず、ziftomenib は既に米国で先行品があるのはご存知だと思います。シンダックスの Revuforj とも言いますが、昨日というか、ここ数日のアメリカのバイオテックのアナリストの関心は、38 ページを見ていただくとわかると思います。ここで書かれている主要評価項目の CR および CRh、つまり寛解か血液の改善を伴う寛解がどうなのだということが公表されていませんねと。シンダックスは、これが 23%出ていて、それに対してどうなのだろうというのが、この評価のわかれ目になっている。

数字は御社にきているのか、きている上で、山下さんの先ほどのご発言につながっているのか。はしごを外されないかということなのですが、その点についてまず確認させてください。

山下 [A]：情報の開示は今回控えさせていただきますが、先ほど申し上げたように、私が期待しているとおりでと言ったところについては、今シンダックス社の薬剤との比較っていうお話がありましたが、シンダックス社の取得している適応は、今回私どもが承認を目指しているものと異なっているところがあります。

KMT2 リアレンジメントという患者さんで、われわれは NPM1 変異の AML の患者さんで、NPM1 の変異の患者さんに対する薬剤はまだ存在しておりません。これが最初の薬剤になるということです。当然、この薬剤として価値が十分にあるというエンドポイントを設定し、それを十分クリアしている状況です。

酒井 [Q]：CR と CRh を評価項目にしていることは間違いないわけですよね、これは。

山下 [A]：そうですね。

酒井 [Q]：この種類の病気ですから、それが主要評価項目であることは間違いない、当然、head-to-head もないことはわかってお聞きしているのですが、ありがとうございます。

もう一つが、rocatinlimab です。先ほど確か 26 ページですか、T 細胞のインバランスというお話が出ていましたが、結局この製品の価値はここに帰結してくるのかなと。つまり、ROCKET の試験を見る限りは、競合品と比べるとどうかなというのが最初の受け止めだったと思います。宮本社長は、私たちは成功したとおっしゃいましたけれども、この T 細胞のインバランスについては、これは臨床試験の中で証明できるのか、それとももっと、いわゆるトランスレーショナルリサーチに入っていないと証明できないのではないかなと思うのですが、この辺をどう、この薬剤の特徴として位置づけていくお考えなのかを教えてください。

宮本 [A]：追加があれば山下からですが、多分これは両方が必要だと思います。

臨床試験だけではわからないし、それからトランスレーショナルリサーチで示すだけでは不十分ですので、両方で、こういう状況がこう、例えば rocatinlimab を使うことによって、患者さんの状況はこう変わっているのだよということを示すことが必要なだろうとは思っています。

山下 [A]：今回こちらに示しているのは、ただの妄想というわけではなく、サイエンスに基づいて、きっとこういうことが起こっているだろうという形で提示しています。これをどういう形で検証するのは、もちろん臨床のところ、例えばバイオマーカーを見ていくとか、検体を使った評価をすることもできるかなと思っております。

ただ、一番重要なところは、このコンセプトがどういう治療効果につながっていくのかで、われわれはこういうコンセプトがあって、この rocatinlimab が、ただ飛んでくるサイトカインを止め

る、打ち落とすだけではなくて、そのサイトカインを発散させる細胞をおさえていく。そのかわり、その効き目のスタート、一方で持続性など、そういったところでサイトカインを対象にしている抗体とは違いが出てくるのではないかなと、そんなところから、こういったことのコンセプトをしっかりと固めていくこともできるのかなと思っています。

酒井 [M]：わかりました。ありがとうございます。

和田 [Q]：SMBC 日興証券の和田と申します。私もパイプラインでうかがいたいです。

今の酒井さんのご質問の続きで、ROCKET スタディの話をうかがいたいなと思っています。アトピー性皮膚炎のところなので、残されているアンメットニーズをどう認識されているかをうかがいたいです。それと、34 ページ目に、ASCEND 試験をお示しいただいているので、ここはそこを狙っていることをお示しいただいているのかなと思っています。

デュピクセントはかなり市場では使われていて、それでまず、多分アンメットとしては、デュピクセントが効かない患者さんが2、3割ぐらいいらっしゃるので、そこがまず一つのポジションかなと思っています。

二つ目は、そのデュピクセントが効く患者さんの中でも、寛解導入療法なので、寛解が導入されて、三つに分かれると思っていて、デュピクセントを投与して6カ月ぐらいで投与をやめるのだと思うのですが、やめても寛解が維持される患者さん、ここにはニーズがないというところなんです。治ってしまう患者さんが一部いらっしゃるのかなと思っているのと。

6か月以降、デュピクセントをやめられないで寛解が維持されるタイプの方と、投与し続けても再発してしまうみたいな形の、多分3種類ぐらいいわかれるのだと思っています。その患者の割合はどれくらいで、現場で見ているかをうかがいたいのですが、いかがでしょうか。

宮本 [A]：そういう細かい数字はご説明できる状況にはないのが事実ですね。もちろん、マーケットに対しては、アムジェンと相当、どういう戦略で攻めるかは細かく全部見っていますが、それを今ここでご披露するわけにはいかない状況です。

和田 [Q]：34 ページ目にお示しいただいている ASCEND 試験のこの三つの群は、結局多分メンテナンス投与し続ける方や、その投与間隔を広げていく、あとはもう投与をやめてしまったプラセボの群というのは、それがどれくらい維持できるかという理解だということなのですが、その理解は正しいですか。

宮本 [A]：それも含めて、先ほどご説明したとおりで、それも含めてなのですが、長期的な有効性・安全性、それから持続性を見たいということですね。

和田 [Q]：もう 1 点、ziftomenib は、先ほど、NPM1 で適応を取ってきますというお話はあったのですが、セカンドラインの KMT2 変異をどう見ているかをうかがいたいのと。ファーストラインは、NPM1 と KMT2 リアレンジメントの両方を取るのだと思うのですが、この考え方について、今得られているデータも含めてうかがえますか。

山下 [A]：まず、セカンドラインの KMT2A リアレンジメントのところは、先ほど申し上げたように、まず単剤としては既にシンダックス社が承認を得ているというところですね。単剤ではなくて、そこにまた併用ということも検討課題かなと考えております。これは、われわれもそういった試験を実質、継続しているところです。

それから、ファーストラインは、その二つの遺伝子変異、リアレンジメント、両方をターゲットにして進めている状況です。

和田 [M]：ありがとうございます。

植田 [Q]：ゴールドマン・サックス証券の植田です。

一つ目に、中期計画の考え方について教えていただきたいです。2026 年度以降に KPI 達成時期という感じでお示しいただきました。

今回、今までお示しいただいている KPI の中で、事業環境が変わってくる中で、こういったところを特に重視されているのか、またその達成時期の時間軸について教えていただけますか。あわせて、環境が変わる中で、KPI をあらためて設定し直す必要性についてもどのようにお考えかを教えてください。

宮本 [A]：おっしゃるとおりで、かなり世の中も変わってきていますし、われわれの周りも大きく変わっていますので、この KPI をどう設定するかは今、社内でもかなりディスカッションしております。特に、中期的なものはどういうお示しの仕方が一番いいのかなというのを考えているところです。それに関しては、何かこうだと決まったものはないということですが、いずれにしても、川口は常日頃、ROE が大事だと言っていますので、その周りは当然見ながらになるかと思います。

ですので、言い訳がましくなりますが、その KPI 自体の見直しも考えることになると、ここでお示ししている KPI の達成時期がいつかは、それと同時に話しすることになるのかなと、もう、これはチャラにしてくださいと言うかもしれませんけれども。

植田 [Q]：2 点目が、事業投資についての考え方を教えていただきたいです。現在のそのパイプラインをどのようにまず評価されているかというところです。昨年はかなり、早期の開発品については、自社品も出てきましたし、後期の部分については導入も進んだのかなと思います。

現状、こういった評価をされているのかと、さらに補強が必要になる場合に、領域など開発のフェーズ、また現在のキャッシュ水準を考えた場合に、どれくらい投資ができるのかについてお考えをお聞かせいただけますか。

宮本 [A]：まず、現在のパイプラインの見方は、基本的にはかなり充実してきているかなと思います。特に、rocatinlimab と ziftomenib は後期に入ってくるもので、それもグローバルに近い形で権利を持つことができていますので、ここはかなり、2、3 年前に比べると状況が違うかなと思っています。

加えて、アーリーなものに関しては、特に自社品が結構上がってきてくれていて、これはかなり心強いと思っています。自分たちの創薬が物につながるというのが一番大事なポイントですので、そういった意味では、かなり昨年臨床に入るものが増えてきましたし、実はこの後ろにもいくつか待っているものがありますので、そういったものを見ると、だいぶ充実はしてきたなと思っています。

ただ、ではこれで満足かと言われれば、R&D は何が起こるかわからないというのはこれまでのすごく教訓ですので、特に注力領域と呼んでいるものに関してのパイプラインの充実は引き続き狙っていききたいのが事実です。

ただ、投資できるキャッシュという感じでは、お金はあるわけですが、1 個導入すればしただけ、その導入一時金の話もありますが、その分、開発費がまたぐっと増えることもありますので、その辺のバランスはよく見ながらやらなくてはいけないかなとは考えています。

植田 [M]：承知いたしました。私からは以上です。ありがとうございます。

村岡 [Q]：モルガン・スタンレー村岡です。ありがとうございます。

言葉尻を捉える質問をしたわけではないのですが、つい先ほどの宮本社長のコメントで、R&D は何が起きるかわからない、ここで確認です。仮に、ASCEND の結果が、薬にはなるけれども商業的に厳しいなとなったとき、どういうアクションを考えなければいけないとお考えでしょうか。

宮本 [A]：答えにくい質問ですね。社内的には、いろいろもちろんシナリオを持って検討はしておりますが、今ここで開示できることはほとんどないです。もちろん、当然、アムジェンとどう相談するかや、承認が取れるのだったらそれはいくぞとかいうのもあると思いますので、その辺、社内的には持っていますが、今お答えできないというのが正直なところですね。

村岡 [Q]：お答えにくいのは百も承知なのですが、例えばそのとき、レイト品は zifto しかもうないではないかとなると、レイト品を買いに行かなくてはいけないのか。いや、実はその頃には自社品も少し上がってくるので、そんなにレイト品をもう 1 個ドンと買わなくてもどうにかなるのか、私的にはリスクシナリオとして気になっているのですが、どちらの色で見たほうがいいですかね。

宮本 [A]：これも、特に自社のアーリーのフェーズのもののデータがどれくらい出てくるのかや、それから明確にお示ししていますように、注力領域でないものはパートナーリングを探しますよということもしていますので、そういったもの、例えばデータが出てきて、こういうパートナーが見つまっている状況があるかないかによってもだいぶ変わらと思うのですね。その辺は柔軟に見ながら、やる必要があってということを考えています。ですので、両睨みというのが今の答えですね。

村岡 [Q]：今回、株価が下がって、これをどうやったら上げられるかなと思い、3 カ月後の決算がよかったらいいよなと期待はしていますが、3 カ月後は、Crysvita はアメリカは一応反動が出るなと、1 年前は、決して 1 年前のファーストクォーターは強くはなかったのですが、あれは BI の一時金もあったし、YoY が楽とは言えないよなと。

3 カ月後のファーストクォーターについて、何か言える範囲で結構ですが、強めに見ていいのか、弱めに見ていたほうがいいのか、色をいただけると助かります。

宮本 [A]：よく見ていただいているので、うーんと思いながら聞いていました。既に 1 カ月経っていますので、今年もですね、その辺を見ながらですが、確かに Crysvita の米国は例年のシーズナリティもあり、ファーストクォーターは全般的にスロースタートであることは間違いないです。

ただ、昨年末、スペシャリティファーマでの在庫は、それなりに積んではいただいたのですが、強烈に積み込まれたわけではないこともあり、ファーストクォーターもスロースタートだろうけれども、そこそこいくかなとは思っていますね。

何か特殊要因があるかないかという話は、あるとしても今言えないですが、色としては、村岡さんのご想像のとおりくらいでいくのではないかなと、順調にいけるのではないかという感じにしています。

村岡 [Q]：できればファーストクォーター出る 5 月の頃に、SHUTTLE、IGNITE のいい情報もセットで、前後ぐらいで出していただけると助かるなと思います。

以上です。ありがとうございます。

宮本 [A]：ありがとうございます。皆さん、ご注目なので、おっしゃるとおりで、この辺のデータの開示タイミング等は、アムジェンとしっかり話しながらやっていければと思っています。

村岡 [Q]：ありがとうございましたと言って、追加で喋ってしまうのですが、SHUTTLE、IGNITE 出るとき、ぜひこの間みたいな消化不良感のあるコールではなく、ある程度納得のいくコールを設定していただくと大変助かります。これはお願いします。

山下 [A]：ありがとうございます。

前回、いろいろ不備があったところもあろうかなと思っています、タイミングを含めてですね。ですので、今回はしっかりと、試験のデータも十分にアムジェンとすり合わせた上で、そういう何かギャップができることのないように心がけて進めてまいりたいと思います。よろしくお願いします。

村岡 [M]：ありがとうございます。以上です。

松原 [Q]：野村証券の松原です。

まず、4083 について教えてください。今回、資料で T 細胞のリバランスということで、直接皮膚細胞に作用しないので、長期での作用が促せるというのは理解しているのですが、ですので、この ASCEND や ORBIT、ASTRO の 52 週での効果を発揮すると思っています。

その中で、この IGNITE、SHUTTLE、この 24 週での結果を今、御社はどのように考えているのか、つまり HORIZON の試験は、P2 試験と比較して少し効果が弱かったと思うのですが、それを踏まえた上で、この IGNITE、SHUTTLE、現状で御社が考えられている結果をうかがえますか。例えば、患者のバックグラウンドと、フェノタイプなどいろいろあると思うのですが、それを考慮して今どのように考察されているのかをうかがえますか。もちろん、結果がわからない、開示できないのは承知しているのですが、その中でどのように考察しているかをお願いできますか。

宮本 [A]：HORIZON も含めて、トップラインのデータだけではなかなか全体像がわかりにくいのだらうなと思っていますので、詳細のデータの開示まで待っていただくのが一番だと思っています。

おっしゃるとおりで、例えば患者の背景や、どんな薬を併用されていたのかなどですね、結果としてどういう人が効いて、どう効かなかったのか辺りの細かいデータを見ていく必要が実際はあって、それがご説明したとおりで、かなり多くの患者さんに入っていてやっていますので、いろいろなことがこれからわかってきます。

それから、事前のご質問にもありました、実際のマーケットに出たときにどれくらいのポテンシャルがどう出せるのだというあたりも、これからどんどんわかってくるのだらうなと思っていますので、その辺のデータの開示をお待ちいただくのが一番かなと思います。

それでないと、実際の、本当の価値はなかなか見切れないのだとわれわれも思っていますので、反対に言えば、その IGNITE、SHUTTLE 等を含めて、そのデータの細かい分析ができてきて、それが見えてくるのを今すごく楽しみにしているところです。

山下さん、何か追加ありますか。

山下 [A]：データが集積してくることによって、さらにわれわれが期待しているところが、より明確にお示しできるのではないかなと思っています。フェーズ 2 で得られた rocatinlimab の特性は、十分そういったところをご紹介できるデータになるのだらうなと期待もしております。

また、先ほどお話があった、より長い試験のデータなど、そういったところもまた開示できるようになってくると、よりそういったところをクリアにお示しできるのではないかなと期待してやっております。

松原 [Q]：先ほど村岡さんからお願いもあったとおり、ご詳細な解析も含めた開示がもしあればありがたいと思います。ありがとうございます。

2 点目が、Crysvita です。でこぼこあるのは承知した上で、確か前回、サードクォーターのときに、服薬コンプライアンスの問題などもあったと思うのですが、そういったライフイベントによるコンプライアンスを改善したなど、何か服薬コンプライアンスに関する何かアップデートなどがあれば。

宮本 [A]：この辺は、アブドゥルが詳しいので、ご紹介できる範囲で話してもらおうと思います。

マリック [A]*：現在、アメリカにおけるこの成人の新患は 75% という水準になっています。こういった症状が今までと違うこともあるのですが、小児に比べて服薬の継続性がかなり違ってきます。この 2、3 カ月、私たちは成人患者さんをフォローアップするための患者様へのサービスの体制を組み直しました。その服薬を続けていくことがいかに重要であるかを、成人患者によく理解していただくための体制になります。

それから、私たちは Clinical Educator という新しい人材を採用するようになりました。この人たちは医療の専門家であって、患者さんに対してこの疾患についての啓蒙や、患者さんの質問にお答えするのが役割になります。そういう意味では、服薬をきちんと守っていただくというコンプライアンス問題は、こういった取り組みによって解消されると思っています。

私たちが非常に将来有望であると考えているのは、小児の患者さんの数に比べて、成人の患者さん、リクルートできた人数が大変多いことです。

以上です。ありがとうございました。

松原 [M]：ありがとうございました。

若尾 [Q]：三つあるのですが、一つ目は簡単にイエスかノーで知りたいです。今期の計画に、また一時収益的なものは入っていますか。Grünenthal のロイヤルティが入るのはわかっているのですが、それ以外に、これまでご発表されてない何か一時的なプロフィットは入っていますか。逆でもいいのですけれども。

川口 [A]：特に入っていないですね。

若尾 [Q]：二つ目が、Crysvita です。今ご説明いただいて、コンプライアンスは改善方向に動くということなのですが、今期のご計画を見ますと、これまでのトレンドとは若干低いトーンなのかなと見えるので、このご計画の作り方についてもう少し知りたいです。

なぜかという、ドルベース、現地通貨ベースの前年度の 23 年度対比の増加分をそのまま今期持ってくると、本来もうちょっと高いはずなのです。そして、ここまでのご説明では、わりとそのトレンドは変わってないということなので、そのまま絶対額としてのつけてもいいと思うのですね。ただ、そうはなっていないくて、わりと伸びの額は低いのです。

その背景は何か、これまでがストレッチしすぎていたので、わりと保守的に作られているのか、もしくはコンプライアンスの部分もその改善途中にあって、まだその問題が一部残っている数字なのか教えてください。

川口 [A]：Crysvita については、25 年は地域別に開示しておりませんので、まとめて海外ということでお話させていただきます。

まず、グローバル全体の患者さんの数ですね、こちらが 2024 年は 7,000 人で、今期の計画はこれが着実に 1,000 人伸びて 8,000 人となっておりますので、まずはボリュームベースで言うと、数量的には同じ伸びを今年度もキープするところをご理解いただきたいと。ですから、分母が上がっていくと、パーセント的には減るかも知れませんが、まず数量的には巡航速度であると。

もう 1 点、24 年と 23 年の伸び率で注意しなければいけないところは、23 年はヨーロッパで過年度の価格修正が入って、かなり低い、価格的に低くなっていましたので、24 年対比で言うと、ヨーロッパはかなり伸びた形になっています。一方で、25 年になりますと、ヨーロッパはイギリ

ス、UK で成人の承認があったので、価格が下がる部分が入っており、その成長率が弱く見えるところは、多分 UK の価格のそこの両方の影響ですね。

昨年の伸び率が高すぎて、今期はそこの価格の面で数量に対して伸び率が低く見えていると、そのミックスによるもの。それから、為替ですね。為替の影響がかなり入っているというところで、われわれとしては数量的には伸びは全く変わらない計画を入れているところです。

若尾 [Q]：今、絶対額で知りたかったのですね。パーセンテージはまさにおっしゃるとおりなので、それはそうだと思うのですが、絶対額で、US だけ切り出しても、その部分の伸びを当てはめるだけでも物足りなさを感じるのですね。今、患者数が同じならば、ドロップする人、やめてしまう人も織り込んでいるのかなと思ったのです。そういうことはないですか。

川口 [A]：ないですね。

若尾 [Q]：もう 1 個だけ教えてください。Ziftomenib は、最初に御社が Kura と提携を発表されたときに見たデータを見て、ベストインクラスなのだろうなと思いました。一方で、その後 ASH に出てきた住友ファーマの enzomenib のデータを見ますと、こちらのほうがベストインクラスではないかと思いました。

今、御社のこの住友ファーマのご評価に関してコメントできるならそれをいただきたいですし、他人のものはコメントできないということならば、御社の製品はベストインクラスである、その背景にあるものをあらためて教えていただけないですか。

山下 [A]：最初のポイントですが、住友ファーマさんの薬剤については、私どもはよく存じ上げていないところがありますので、コメントは控えさせていただきます。

私どもは、シンダックス社は先ほどあったように、既にメニンインヒビターという形で先に入っていますが、メニン阻害剤という中でも、いろいろなセグメントがあって、今 NPM1 はといったところでは、われわれが一番先に進んでいく。

それから、AML 全体の中でも、NPM1 変異を持っている患者さんの割合が非常に多いといったところで、ここを起点に、将来この薬剤を拡大していくことができるのではないかと。われわれの薬剤は、当然メニンインヒビターとしての有効性もそうですが、薬剤のプロファイルとして、例えば先行品が、QTc の延長があって使用に限界が出る可能性があるなどですね。

あるいは、薬剤のインタラクションといったところで、例えば併用薬で、ベネトクラクスというものがあるのですが、これなんかは CYP3A4、代謝される薬剤で、その代謝酵素阻害が何かがあると併用が難しいことが起こったりします。

ですが、そういうドラッグインタラクションのプロファイルも非常にいいとかですね、あと、安全性も非常にプロファイルがいいということで、他社さんとの比較をあまり考えるよりは、今、われわれがやっているものを先行させてやっていくといったところで、あまり障害なく進めていける薬剤だなと認識しています。

若尾 [Q]：そうすると、Kura との提携交渉の際に、住友の enzomenib のデータなどは見ず、特にそれはノーマークで、Kura とのやり取りの中で提携が決まったと考えるべきですか。

山下 [A]：そういったものが開発されていることは存じ上げておりましたが、情報としては非常に限られている中で、当然入手できる中では、そういうものもあるのだという前提で検討は進めてまいりました。

若尾 [M]：ありがとうございます。以上です。

和田 [Q]：1 点だけ、Crysvita と同じ適応症の KK8123 みたいな話で、新しくフェーズ 1 を始められたパイプラインがあると思います。調べると、作用メカニズムは同じかなと思っているのですが、この位置づけはどういった、開発の戦略についてうかがえればと思います。いかがでしょうか。

宮本 [A]：それに関してはこれ以上の開示はできない状況ですね。すみません。

坂口 [Q]：医薬経済社の坂口と申します。日本事業の合理化に関して、昨年実施された研究部門の希望退職者は何人ぐらいいらっしゃるのでしょうか。

宮本 [A]：低分子のところを縮小していこうということで、希望退職者をファンクションを限って募集して、121 名です。

坂口 [Q]：その 121 人という数字に関してはどのようにご評価されますか。

宮本 [A]：われわれがその低分子をグッと縮小して、違うモダリティにいこうということに関して、121 名の方が他のキャリアを選ぶことを決断いただいたことは、非常に、お別れする方はそれなりのグッとくる思いがありますが、意思を忘れずに、われわれは新しいモダリティで頑張ろうという決意です。

坂口 [Q]：ありがとうございます。関連して、今後のその日本事業の効率化という点では、他の部門に対してもそういった希望退職者制度をやるなど、そういうお考えはあるのでしょうか。

宮本 [A]：今、決まっていることは何もないですね。これはもう先ほどもご説明したとおり、グローバルで、全体の会社としていかに成長していくかはとても大事ですので、日本事業に限らずです

が、常に必要であれば、頭数をシフトさせる、減らすことは常に考えているということになります。今、決まっていることは何もありません。

坂口 [M]：わかりました。ありがとうございました。

酒田 [Q]：ありがとうございます。薬事日報の酒田と申します。

経営体制、新しい経営体制についてうかがいます。ざっくり言うと、今ここであらためる必要性はどこにあったのかというのが一つ目です。

二つ目は、マリックさんにうかがいたいです。新体制はビジョンに向けて進めていくとのことでしたが、その中でのご自身のミッションや、そこら辺の抱負などをどのように捉えていらっしゃるか。

三つ目は、26年度からの新中計、その辺の課題ですね。取り組み方針をどのように考えていらっしゃるかです。何より、第1優先は成長投資であると、そしてあとはもう少し筋肉質体質に見直していくのだというお話でしたが、その辺について、この三つについてうかがいたいと思います。

宮本 [A]：1番目と3番目は私がお答えします。2番目はアブドゥルに任せます。

今、なぜCEO・COOの体制にするかというご質問だと思います。これまで私が社長になって、それからこの今の中計は2021年からスタートしていますが、その間でグローバル製品二つをしっかりと出すことができました。

その他に、例えば、われわれが作ったファセンラをアストラゼネカさんに非常にグローバルでよく展開していただくと。それから、今、われわれが作った抗体ですが、rocatinlimabでアムジェンとグローバルに向かって力強く臨床試験をやっている状況で、パイプライン側から見ても、比較的そのグローバルへの足がかりができてきている。それから、体制もこの間かなり日本の会社が、子会社を海外に持っていったという体制からも、グローバル一体の体制にかなり動いてきています。

ですので、ここで2030年のビジョン、それからその先に向け、より先ほどからご説明していますように、筋肉質にしていく、それからパイプラインをフォーカスしていく中で、Story for Vision 2030を出したわけです。それに向かっていろいろ進めていますが、この進めをより加速していく必要があるというところです。

私1人で全てを見ながらコントロールするよりは、CEO、COOの体制で、それだけ役割を分けて、このオペレーション、それから全体の構成をこっちアクセラレートしていく取り組みのためにこの体制がいいだろうということと。私もだいぶ、7年経ちますし、しかも素晴らしいタレント

がわが社にいますので、この体制にするのがベストではないかということで、今期からその体制にしたいなと思っています。

それから、来年度以降どうするかという話で、これは今、社内でもかなり話をしていますので、時期が来たらお示ししたいと思います。Story for Vision 2030、ビジョン 2030 自体は変えないと思っていますので、これをいかに力強く進めるかが一番大事なことだと思っています。2030 年に向けてですね。

この間に、先ほどからもお話が出ていたパイプラインがどう進むかは、順調に進んでくれれば、かなり大きな成長軌道に乗れると信じておりますので、それを確実にしていくプロセスがこれから必要だということで、それに向かって取り組むのだろうなと思っています。

それでは、抱負はアブドゥルさんから。

マリック [A]*：非常に私はラッキーだと思っています。つまり、私の使命はこの 2030 年ビジョンで明確になっているストーリー、これを実行していけばいいと受け止めているからです。そこには、三つ重要な要素があると思います。私どもは、Life-changing バリューを提供する医薬品をうまく上市させ、そして提供していくインフラをここまでうまく整備することができました。

私たちは、それで多くのことを学ぶことができましたが、それとともにもっともっと改善を続けて、より多くの患者さんに私たちの薬をお届けしたいと思っています。それを考えると、今、まだ Crysvita や Poteligeo を提供できている患者さんは、本当に患者さんのほんの一部にしか過ぎない状況が明確にですので、私たちの旅路はまだまだ続いています。

2 点目、これは私たちが研究開発に投資しているレベルについて、皆さんよくご存知だと思いますが、全世界的に今まで私たちが整備したインフラを活用しながら、このプロジェクトをさらに先に進めていくことが極めて重要です。

それから 3 点目、日本発のグローバルスペシャリティファーマ、協和キリンとして一体であること、そのユニークなわれわれの存在を維持していくことがもう一つ重要な点です。全世界に私たちは社員を有しているわけですが、その人たちの行動のあり方は、先ほど宮本から KABEGOE Principles の紹介がありましたが、KABEGOE Principles にのっとって、社員は行動していくことが重要です。

より多くの患者さんに Life-changing なお薬をお届けする、そしてより多くの患者さんに笑顔になっていただくために、私が確実に実行していかなければいけない使命の重要な点についてご紹介申し上げます。

ありがとうございます。

酒田 [M]：ありがとうございました。

中村 [M]：ありがとうございます。皆様、貴重なご質問をいただきありがとうございました。

これにて全体質疑を終了し、Zoom 配信はこれにて終了します。オンラインにてご参加いただきました皆様、ありがとうございました。

以上

脚注

1. * は企業の同時通訳の書き起こしを示す