

2024年12月期 決算説明資料

協和キリン株式会社

 **KYOWA KIRIN**

アジェンダ

2021-2025年中期経営計画
～2024年の振り返り / 2025年の計画～
キャピタルアロケーション、株主還元
コマーシャルアップデート
R&Dアップデート
2024年のニュース
Q&A

代表取締役社長 Chief Executive Officer (CEO) 宮本 昌志
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 International Business Officer (CIBO) アブドゥル マリック

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。

2021-2025年中期経営計画 ～2024年の振り返り～

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
 - ✓ 米国で異染性白質ジ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「くるこつボイス」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

FY24 業績サマリー

(単位は億円、単位未満四捨五入)

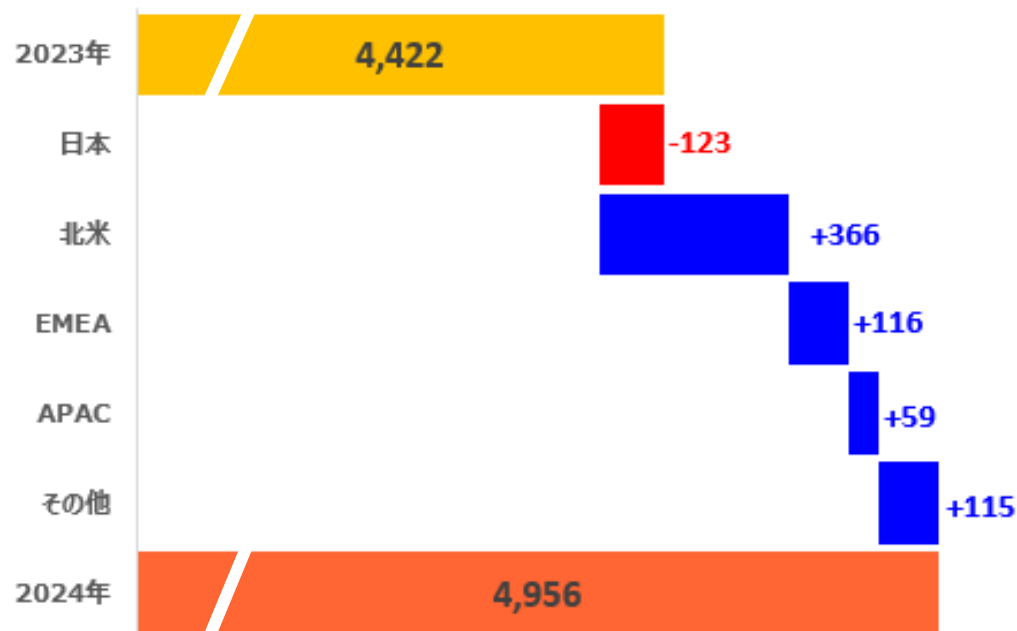
	2023年 実績	2024年 実績	増減	2024年 修正予想	達成率
売上収益 [海外売上比率]	4,422 [65%]	4,956 [72%]	+533 (+12%)	4,920 [71%]	101%
売上総利益 [売上総利益率]	3,310 [75%]	3,629 [73%]	+319 (+10%)	3,640 [74%]	100%
販売費及び一般管理費 [販管費率]	1,631 [37%]	1,675 [34%]	+45 (+3%)	1,680 [34%]	100%
研究開発費 [研究開発費率]	721 [16%]	1,035 [21%]	+314 (+44%)	1,050 [21%]	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%			

【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

FY23 vs FY24 ~売上収益~

**売上収益 +533億円
(うち為替 +244億円)**



- **日本 -123億円**

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 +366億円 (うち為替+121億円)**

Crysvita(+24%)・Poteligeo(+38%)がそれぞれ売上を伸ばし、北米リージョンは27%の増収。

- **EMEA +116億円 (うち為替+69億円)**

Crysvita(+47%)・Poteligeo(+19%)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16%の増収。

- **APAC +59億円 (うち為替+22億円)**

Crysvita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社への在庫一括譲渡が発生し、APACリージョンは17%の増収。

- **その他 +115億円 (うち為替+33億円)**

ファセンラ(ベンラリズムブ)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24%の増収。

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
クリースビータ	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%
ネスプ+ネスプAG ¹	171	142	-29 (-17%)		144	99%
ネスプ	32	26	-5 (-16%)	薬価改定・競合品影響	28	96%
ネスプ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. 正式名はダルベ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。

FY23 vs FY24 ~海外主要アイテム売上収益~

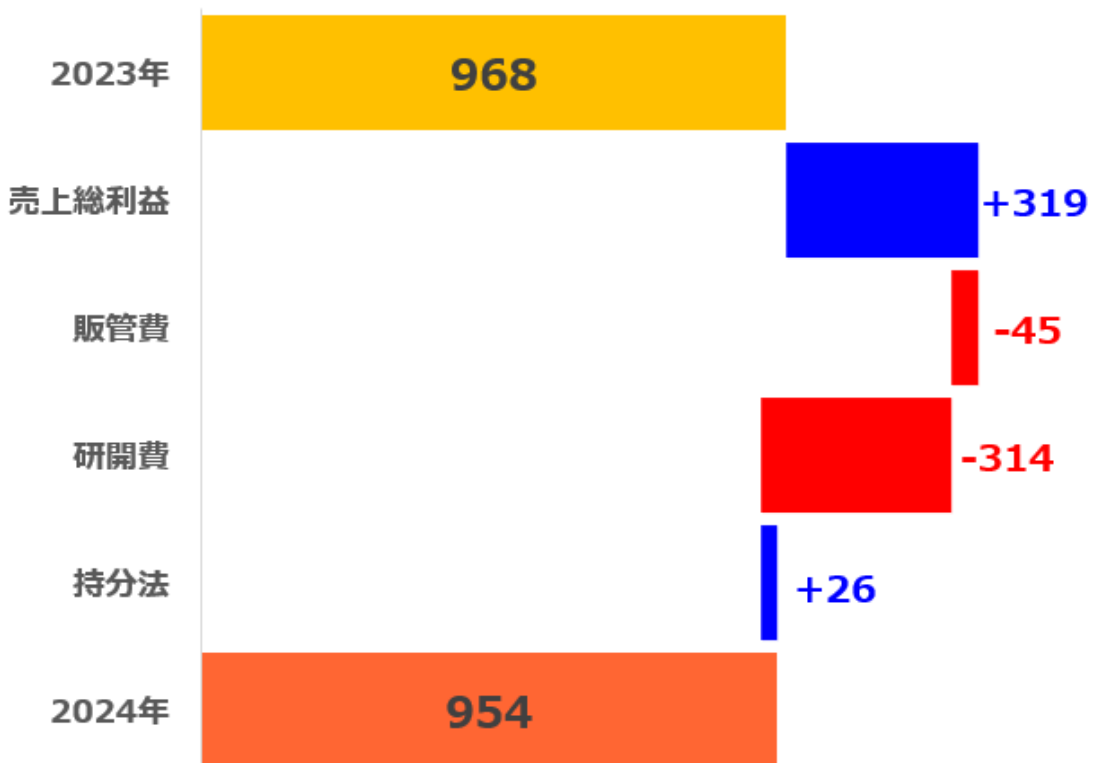
(単位は億円、単位未満四捨五入)

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%)	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	100%
ベンラズマブ ロイヤルティ ²	274	314	+40 (+15%)			

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)

FY23 vs FY24 ~コア営業利益~

**コア営業利益 -14億円
(うち為替 +86億円)**



● **売上総利益 +319億円 (うち為替+213億円)**

売上収益増加(+533億円)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を下回った(75%→73%)。

● **販売費及び一般管理費 -45億円 (うち為替-76億円)**

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、人件費等の増加に加えて、Orchardの新規連結および為替影響により増加。
[人件費 -104、販売促進費 +116 (Crysvita北米プロフィットシェア費用 +116) など]

● **研究開発費 -314億円 (うち為替-53億円)**

第Ⅲ相国際共同治験を実施中のKHK4083の開発進展とOrchardの新規連結等により、前年比44%(314億円)の大幅増加(1,000億円超に)。研究開発費率は16%→21%と5ポイント増加。

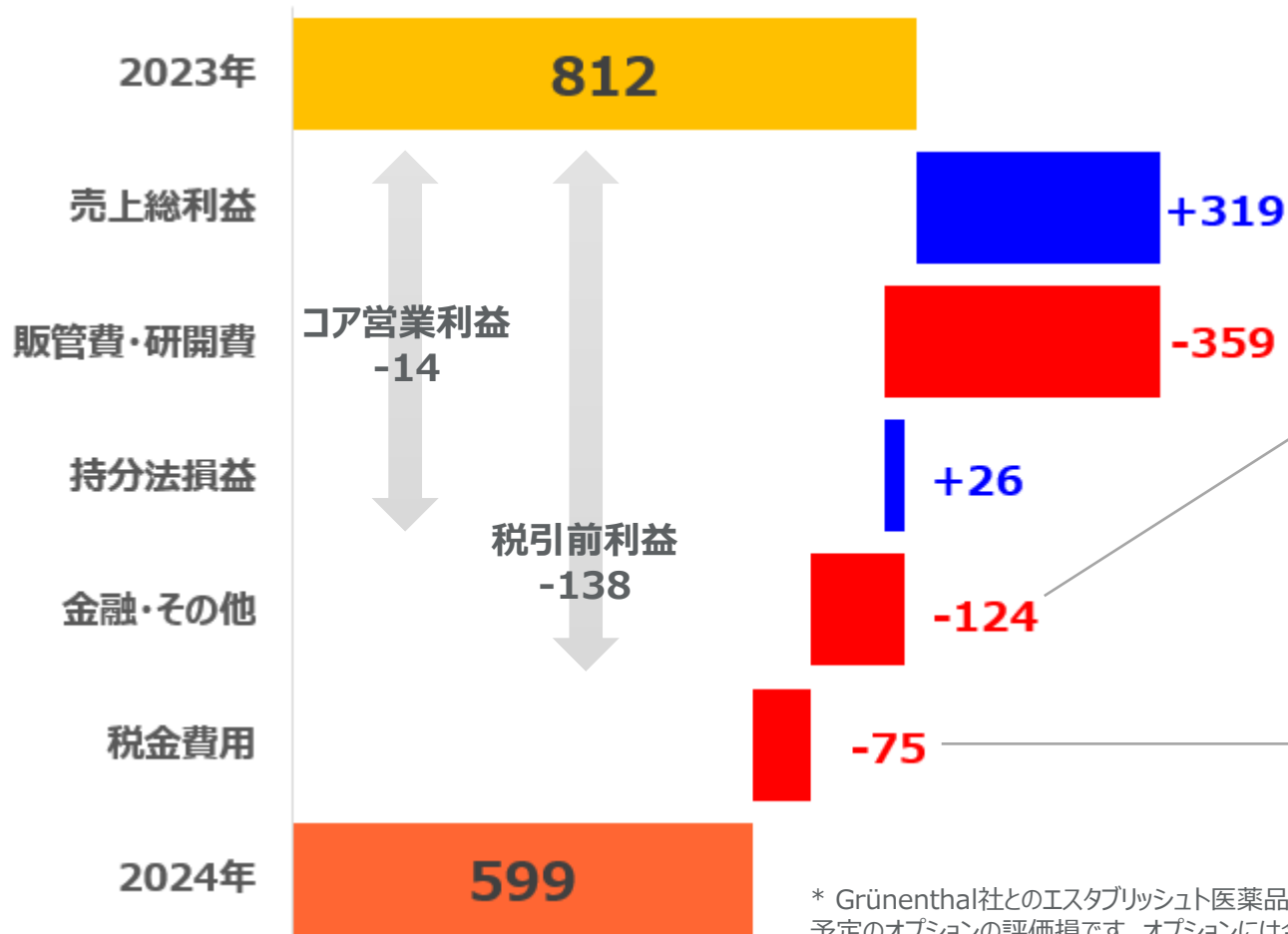
● **持分法投資損益 +26億円 (うち為替+2億円)**

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したことに加え、FKBの税効果影響もあり増益。

FKB：協和キリン富士フィルムバイオロジクス株式会社

FY23 vs FY24 ~当期利益~

当期利益(1-12月) -213億円



● 金融・その他 -124億円

- ・ 欧州エスタブリッシュト医薬品事業合併化 -148 (FY23: 148 → FY24: 0)
- ・ 事業構造改善費用 -67 (62 → 129)
FY24: APAC再編 76、JP研究体制再編 21 など
- ・ デリバティブ評価損* -60
- ・ 減損損失 +88 (108 → 21) FY23: RTA 402仕掛研究費 83 など
- ・ 中国子会社譲渡益 +74

● 税金費用 -75億円

- ・ 税負担率 16.5% → 28.3%
- ・ FY23: 欧州エスタブリッシュト医薬品事業合併化に対する免税影響
- ・ FY24: デリバティブ評価損*に対する損金不算入影響

* Grünenthal社とのエスタブリッシュト医薬品合併化に関する提携契約(2023年8月発効)に基づく、2026年第1四半期に行使予定のオプションの評価損です。オプションには合併会社の49%の持分と知的財産を含む同事業に関する残存資産を同社に譲渡することが含まれます。その公正価値評価には、一般的な市場条件の変化や欠品、技術移管に係る逸失利益に対する補償リスクが織り込まれています。

2021-2025年中期経営計画 ～2025年の計画～

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

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

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Cowellnex株式会社での健康を取り巻く社会課題への取り組み

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

FY25 業績予想サマリー

(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%	

【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

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

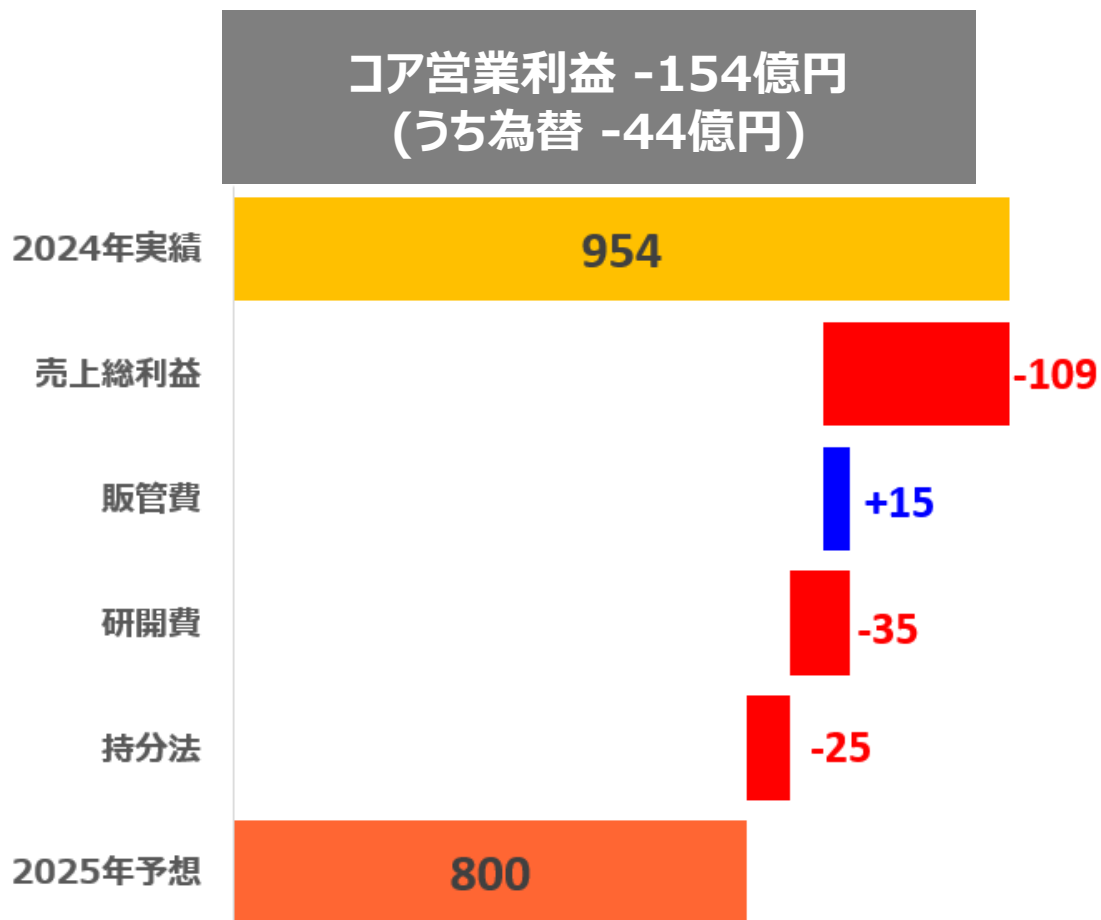
FY25 ～主要アイテム売上収益予想～

(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%)	市場浸透
	日本	105	117	131	+13 (+11%)	
	北米	1,052	1,300			
	EMEA	351	515	1,971	+123 (+7%)	
	APAC	16	33			
Poteligeo		303	399	454	+55 (+14%)	市場浸透
	日本	19	18	19	+1 (+3%)	
	北米	215	297	341	+43 (+15%)	
	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	155	+28 (+22%)	市場浸透(2020.8発売)
ネスプ+ネスプAG ¹	日本	171	142	116	-27 (-19%)	薬価改定・競合品影響
ジーラスタ	日本	319	205	170	-35 (-17%)	薬価改定・競合品影響
ロミプレート	日本	120	139	146	+7 (+5%)	市場浸透
技術収入		419	488	523	+35 (+7%)	ファセンラ伸長
ベンラリズムブ ロイヤルティ ²		274	314			

1. 正式名はダルベ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。
2. AstraZeneca社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)

FY24 vs FY25 ～コア営業利益～



コア営業利益 -154億円
(うち為替 -44億円)

● 売上総利益 -109億円

北米を中心にCrysvita、Poteligeoが売上収益を伸ばすものの、EMEAリージョンの一時収益の減少、APAC事業の再編による影響、日本におけるドボベットの販売提携契約終了や薬価改定の影響等に加えて、為替影響(-114億円)により、売上収益が176億円(日本-129、北米+166、EMEA-112、その他-100 (うちAPAC事業再編影響-180))減少することにより、売上総利益は減少する見込み。

● 販売費及び一般管理費 +15億円

ziftomenibおよびKHK4083に関する上市準備に係る費用の増加や、インフレ等による人件費の上昇などが見込まれるが、APAC事業の再編影響により15億円減少する見込み。

● 研究開発費 -35億円

第Ⅲ相国際共同治験を実施中のKHK4083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見通し。研究開発費率は20.9%→22.4%と1.5ポイント増加する見込み。

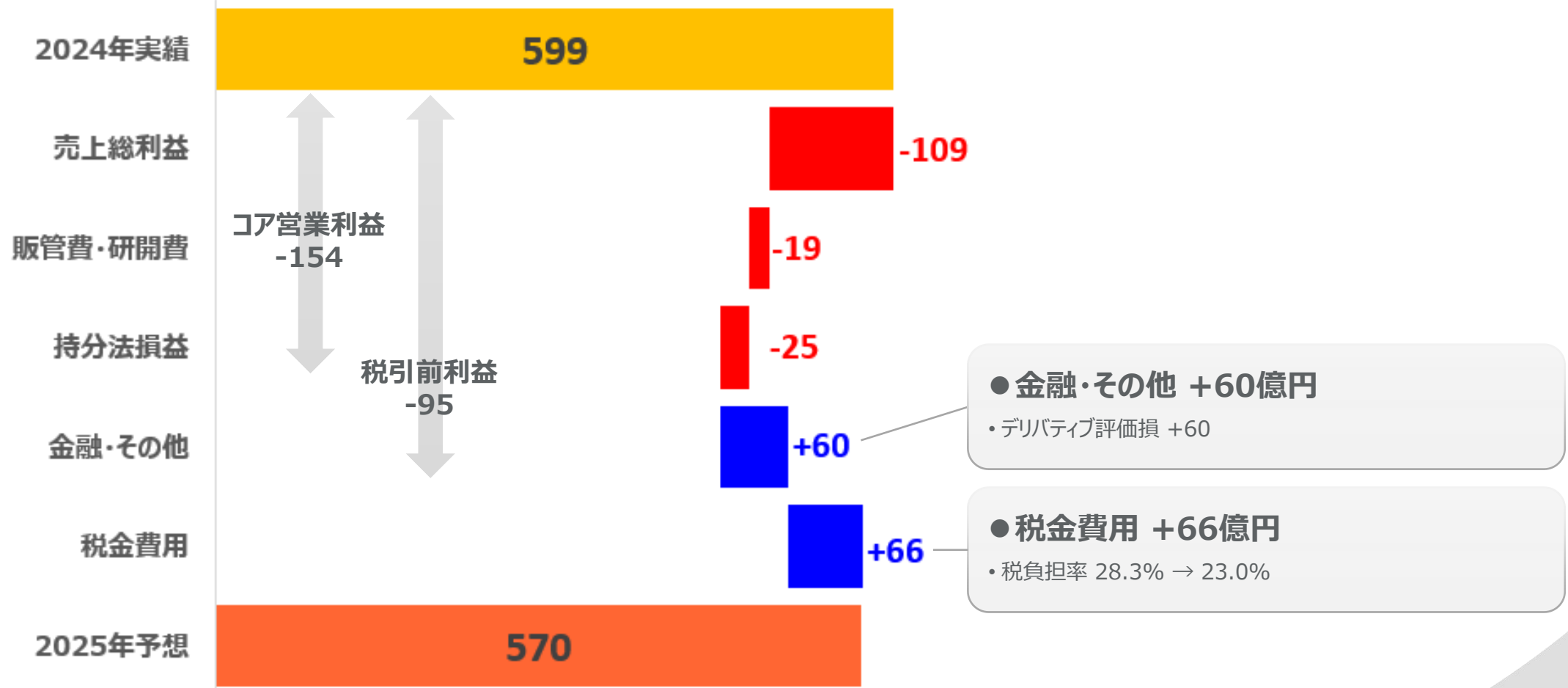
● 持分法投資損益 -25億円

前年に発生した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における在庫譲渡益がなくなることに加え、FKBの税効果影響もなくなることから25億円の減益となる見込み。

FKB：協和キリン富士フィルムバイオロジクス株式会社

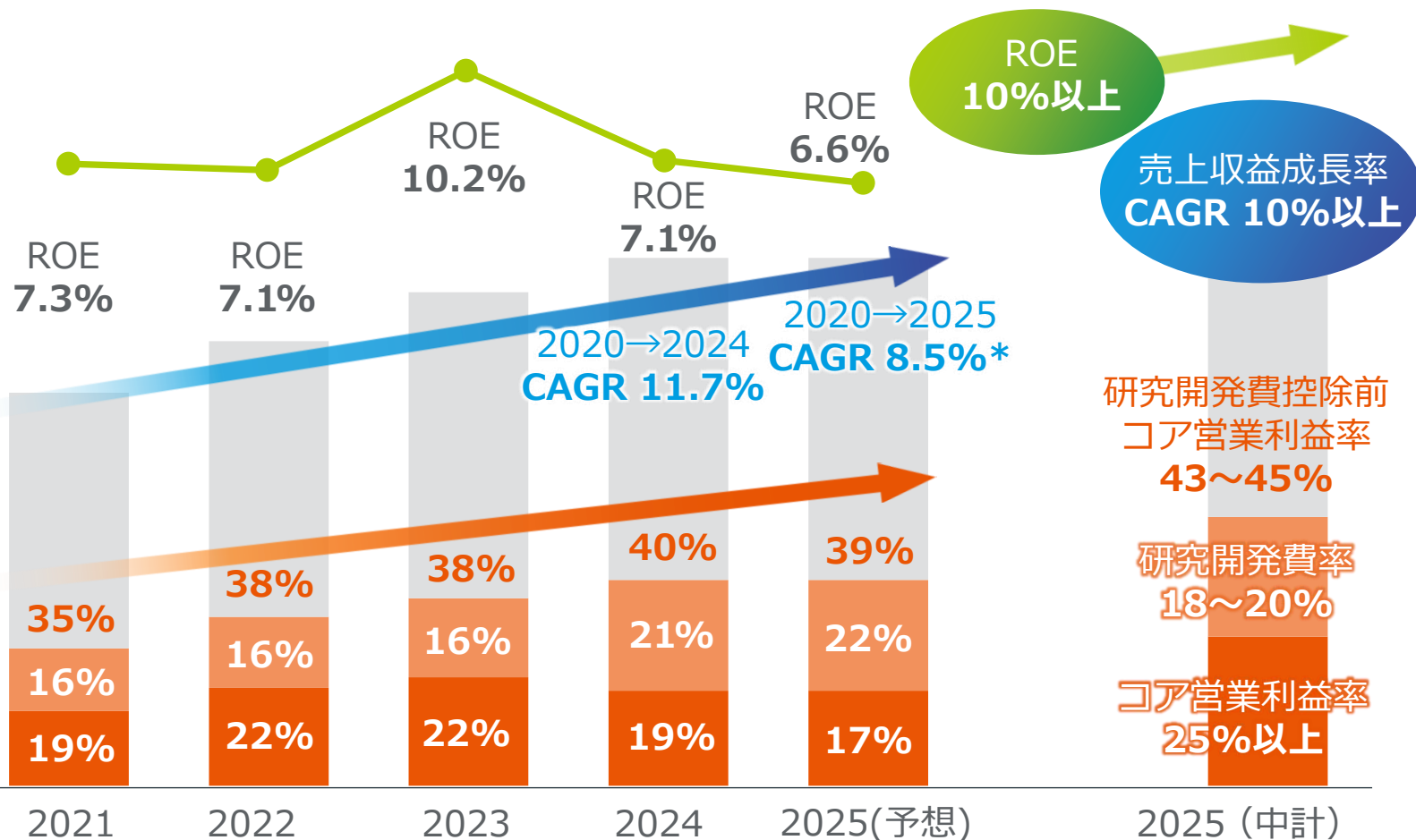
FY24 vs FY25 ~当期利益~

当期利益(1-12月) -29億円



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



2025年中計財務KPI 達成時期を2026年以降へ

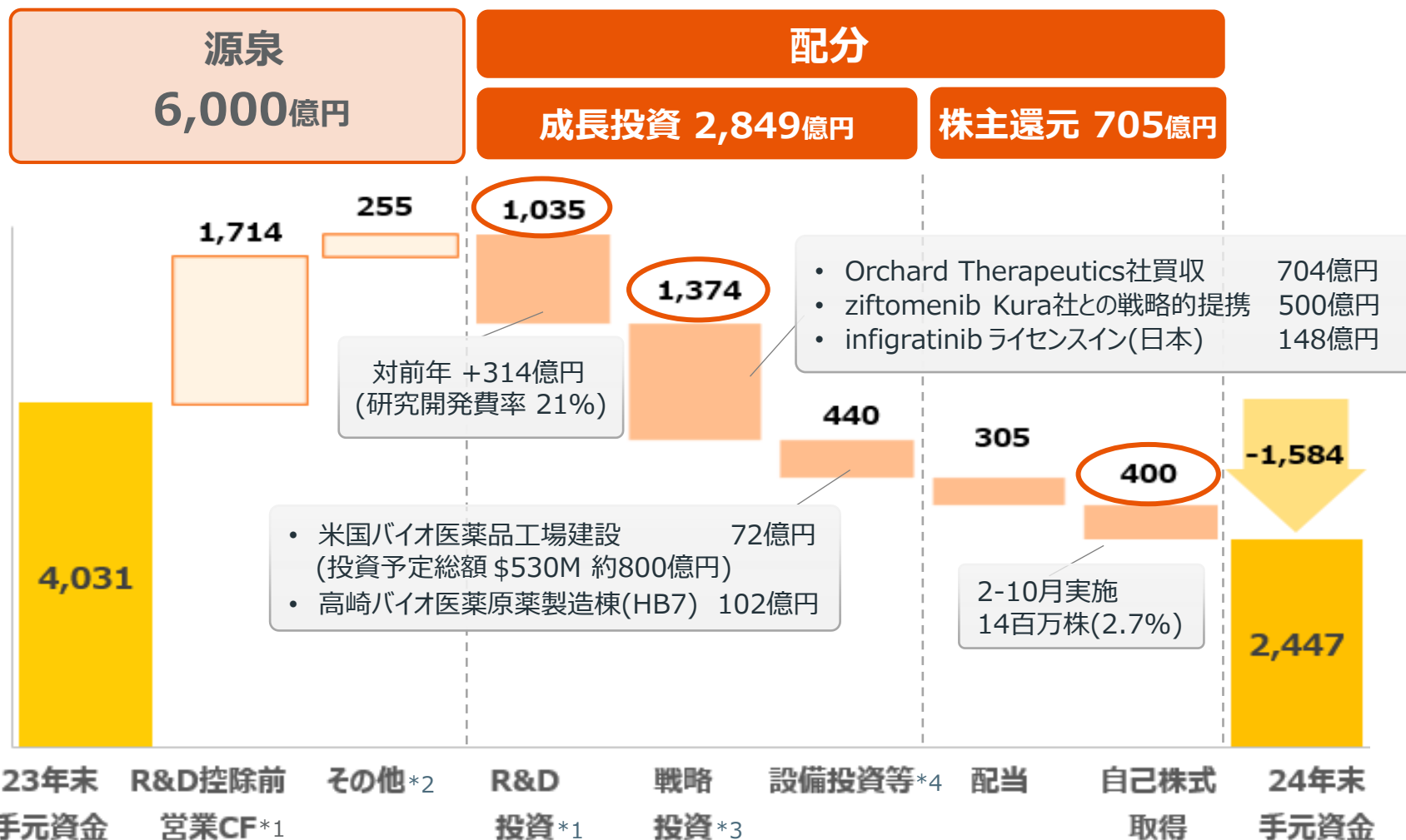
- +**
 - Crysvitaの順調な伸長
 - KHK4083のAmgen社との提携
 - 円安の進行
- - Orchard買収による短期財務インパクト
 - KHK4083の開発投資の拡大
 - 薬価環境の悪化 (日本、欧州、中国)
 - 新製品の未上市 (開発中止、Nourianz欧州不承認)

キャピタルアロケーション、株主還元

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推進～

- ✓ 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

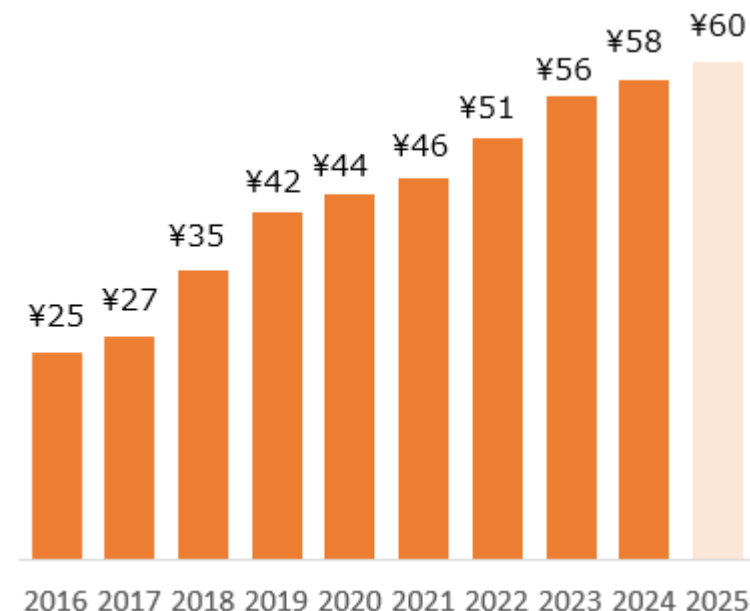


*1 P/Lベース
 *2 主に売却による投資の回収
 *3 ポートフォリオ強化を目的とするライセンスイン・M&A投資、新たな強みを創造するサイエンス・テクノロジーへの投資
 *4 設備投資(検収ベース)、無形資産投資(*3を除く)等

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%	5.3%
2017	12.50	14.50	27.00	34.4%	7.2%
2018	15.00	20.00	35.00	35.2%	8.6%
2019 ^{*3}	20.00	22.00	42.00	33.7%	10.1%
2020	22.00	22.00	44.00	50.3%	6.8%
2021	23.00	23.00	46.00	43.2%	7.3%
2022	24.00	27.00	51.00	38.9%	7.1%
2023	27.00	29.00	56.00	35.5%	10.2%
2024 ^{*4*5}	29.00	29.00	58.00	47.8%	7.1%
2025 (予定)	30.00	30.00	60.00	50.3%	6.6%

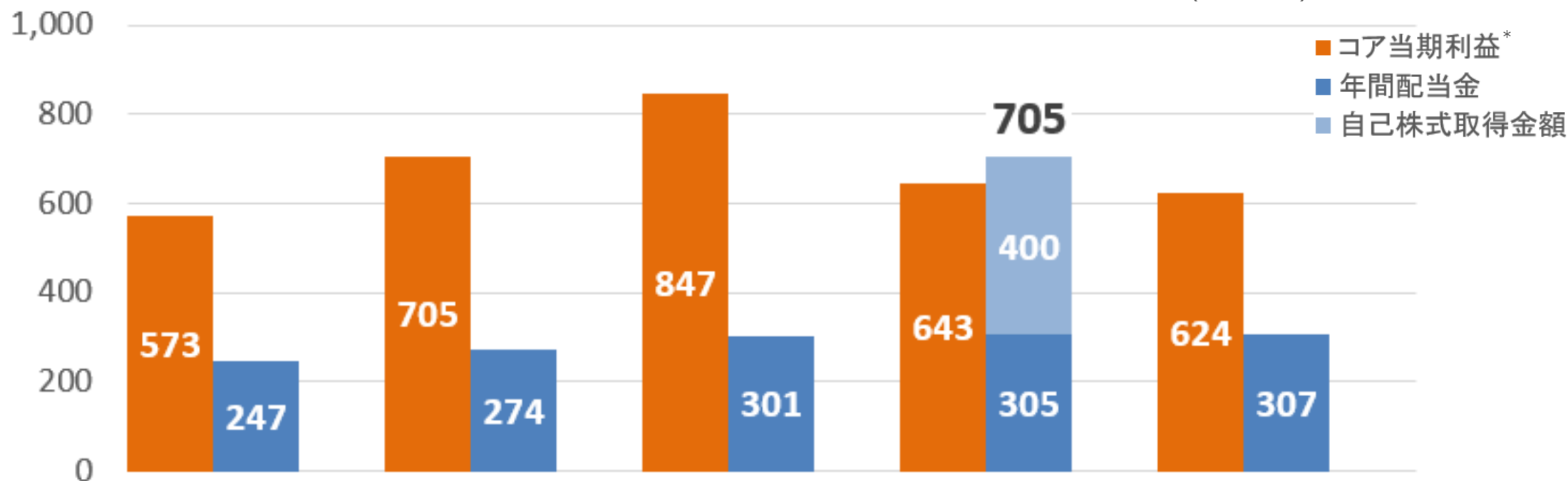


*1 2021年以降の配当性向は、コアEPS (その他の収益/費用とそれらに係る税金影響を控除した当期利益「コア当期利益」を元に算出したEPS) に対する配当性向
 *2 Return On Equity: 自己資本当期利益率
 *3 2019年2月6日に自己株式10,700千株(226億円)を取得、2019年の総還元性向は67.3%
 *4 2024年2月~10月に自己株式14,366千株(400億円)を取得、2024年の総還元性向は109.6%
 *5 期末配当29円については、2025年3月19日開催予定の第102回定時株主総会に付議予定

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%

(単位: 億円)



	2021	2022	2023	2024	2025(予定)
配当金 (円/株)	46.0	51.0	56.0	58.0	60.0
配当性向	43.2%	38.9%	35.5%	47.8%	50.3%
総還元性向	43.2%	38.9%	35.5%	109.6%	50.3%

コマーシャルアップデート

Coordinated Actions to Maximize the Patient Access to global strategic products

2024年振り返り・2025年キーアクション

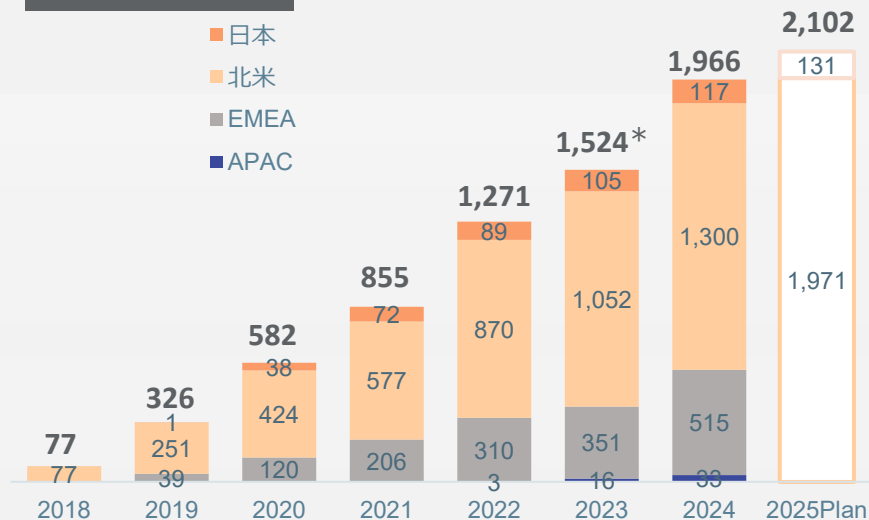
2024年振り返り

- 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

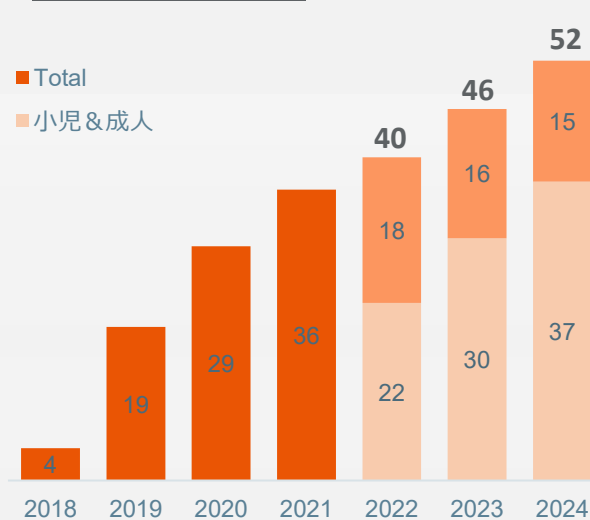
- エビデンスに基づくマーケティング活動の強化。
- 北米：
プロモーション活動の強化、疾患啓発活動や患者支援プログラムを通じた更なる市場浸透。
- EMEA：
引き続き、適応および上市国・地域の拡大に注力。成人XLHにおける市場浸透。
- 日本：
専任担当者を中心とするプロモーション活動の更なる強化、患者さん向け疾患啓発活動の強化。

売上収益

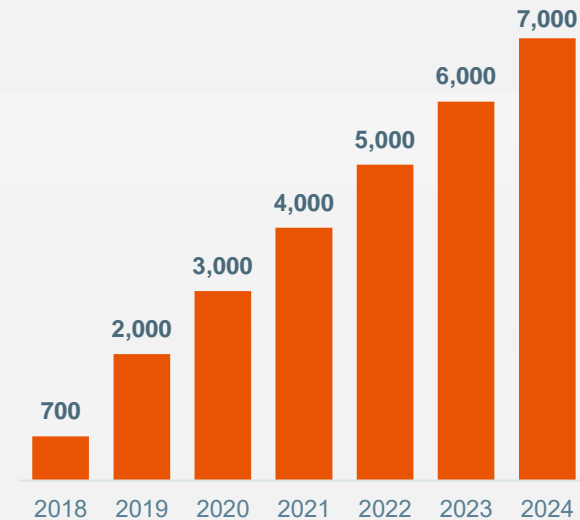


*EAP (Early Access Program) による収益は2022年度まで売上収益に含めず、2023年度以降は金額的に僅少になることから売上収益に含めています。

上市国・地域数



治療患者数



*Ultragenyx社が売上計上するラテン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。

2024年振り返り・2025年キーアクション

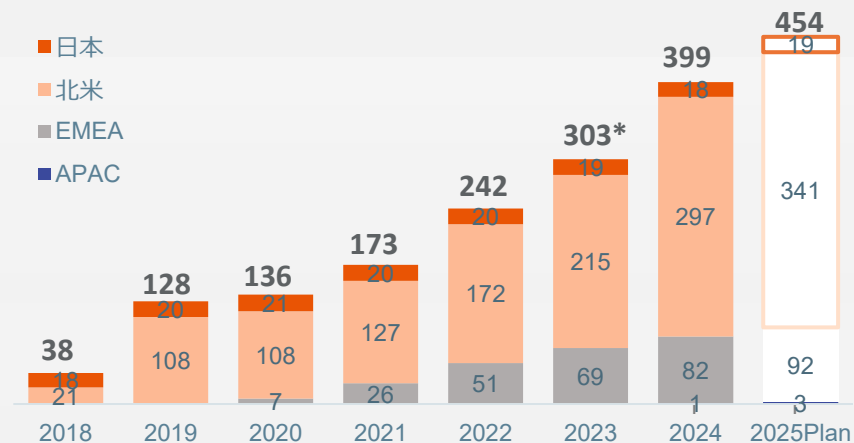
2024年振り返り

- 北米：前同比+38%
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展開。
セールスフォースの強化に加え、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奏功し大幅に成長。
- EMEA：前同比+19%
上市国・エリアの大幅な拡大や皮膚病変が主となる早期症例における新規患者数も増加し、成長を継続。

2025年キーアクション

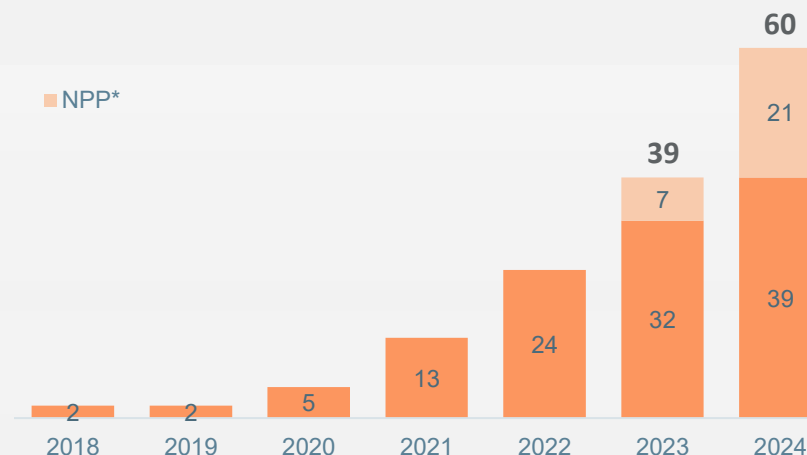
- GLOBAL
エビデンスに基づくプロモーション活動を引き続き拡大し、血液病変が主となる症例から皮膚病変が主となる早期症例まで幅広く対処する。
- 北米 & EMEA
営業組織の強化を通じた医療施設へのアクセスを増加する。
- 北米
AI技術の活用により、データ分析結果に基づく本剤の投与可能性が高い医療施設を中心においたプロモーション活動を進化する。

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



*Named Patient Program: 特定の病状を持つ患者が臨床試験に参加できず、他の治療法が効果がない場合に、医療提供者が未承認の医薬品にアクセスできる制度

R&Dアップデート

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 ROCKET IGNITE (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)	ピボタル試験 (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

アトピー性皮膚炎 – 患者さんの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



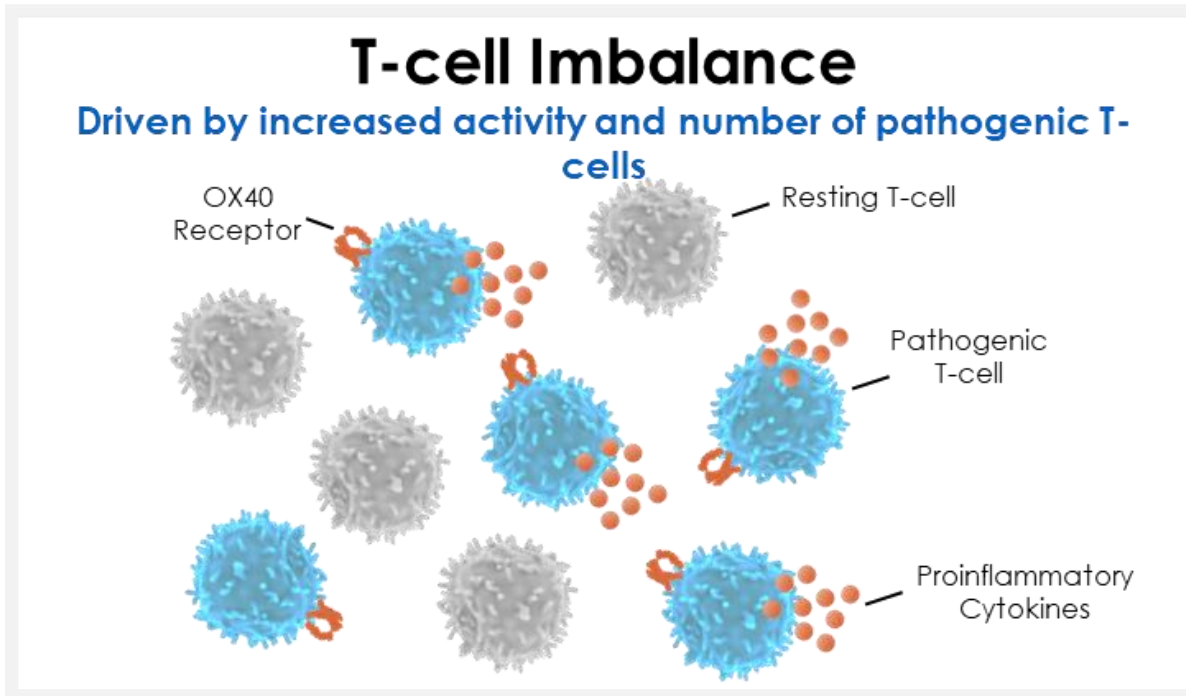
- 慢性の炎症性疾患であり、炎症部位の皮膚は極度に乾燥して掻痒や痛みを伴う
- 掻破行為が繰り返されると、皮膚の肥厚、硬化、易感染状態を引き起こす
- アトピー性皮膚炎の臨床症状には複雑な免疫経路のネットワークが関与し、多種多様な重症度と分布を示す
- 中等度から重症では、睡眠、精神面、日常生活、生産性に悪影響を及ぼし、結果として社会活動に困難を生じ、QOL低下をもたらす



患者さんのご家族に大きな負担 – アンメットメディカルニーズ

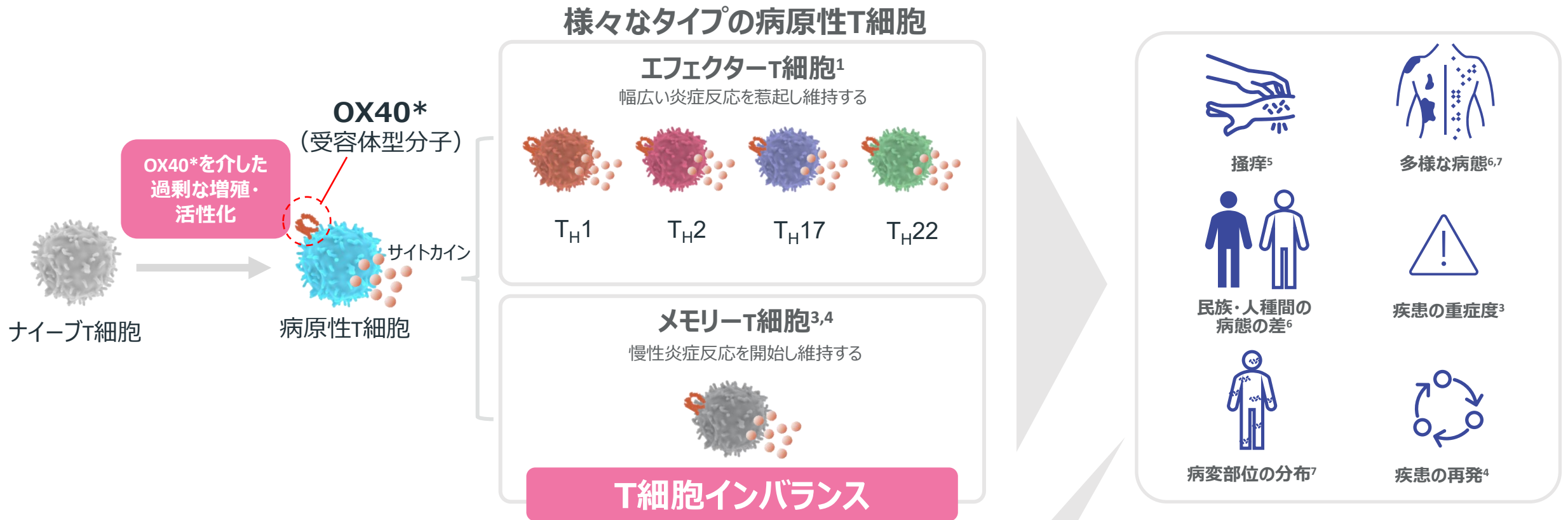
このような炎症性疾患は、「T細胞インバランス」が根本的な原因の一つと考えられている

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

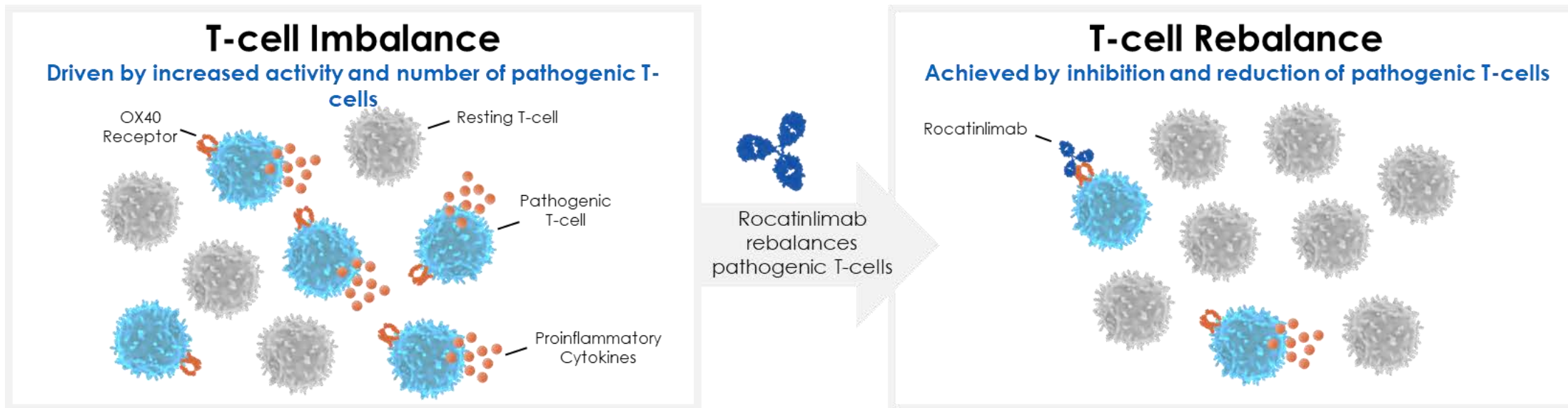
複数の病原性T細胞によるT細胞インバランスが、アトピー性皮膚炎の病態の慢性化と複雑性に寄与^{1,2}



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. T_H = 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.

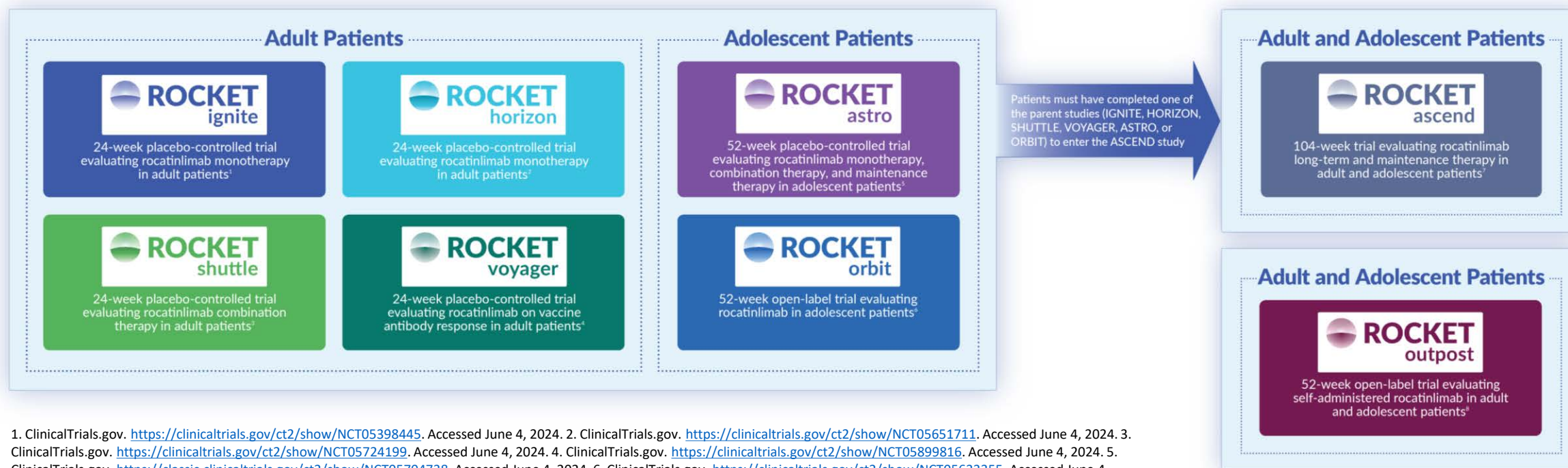
T細胞リバランス – 炎症性疾患の根本原因の改善により広範囲で持続的な治療効果を目指す



- 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**

Rocatinlimab – P3試験 ROCKETプログラム

- 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://classic.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.

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



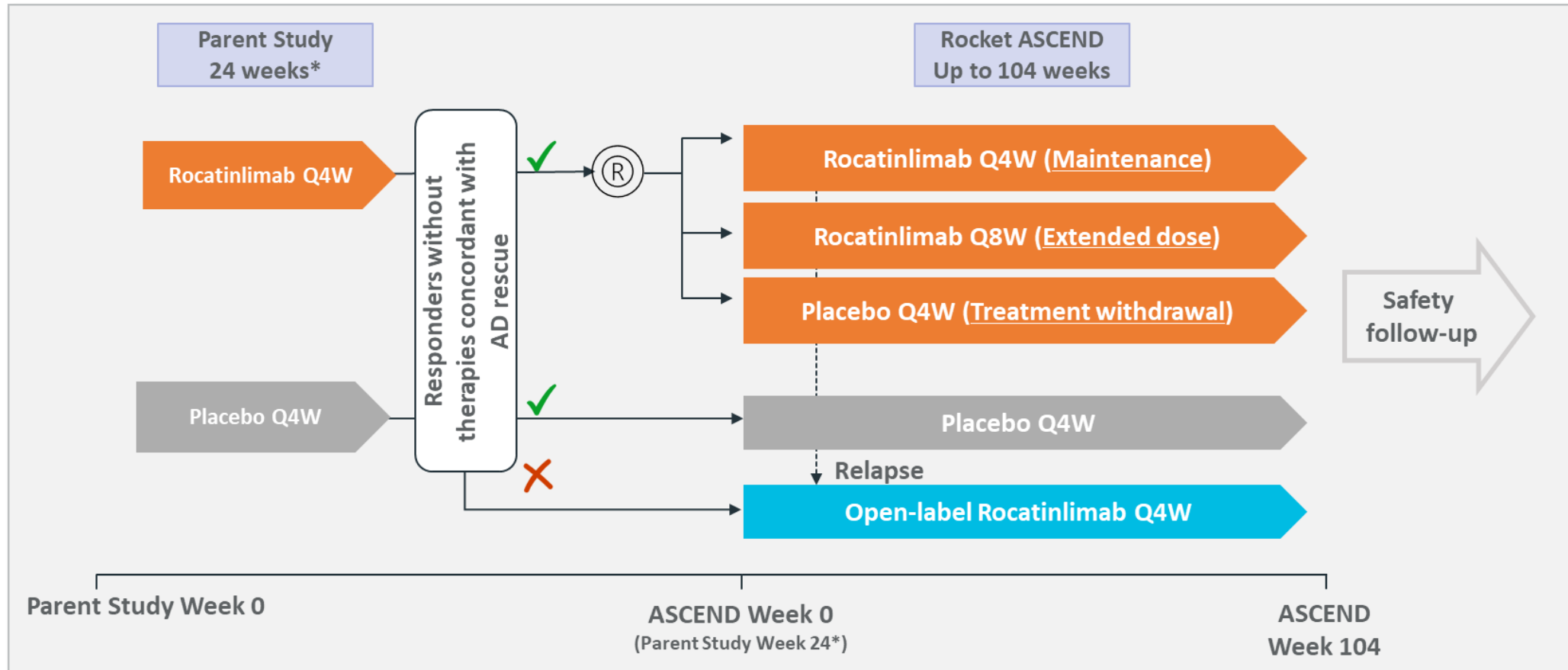
※中間解析



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

ROCKET ASCEND試験デザイン* – 単剤試験の成人被験者の場合

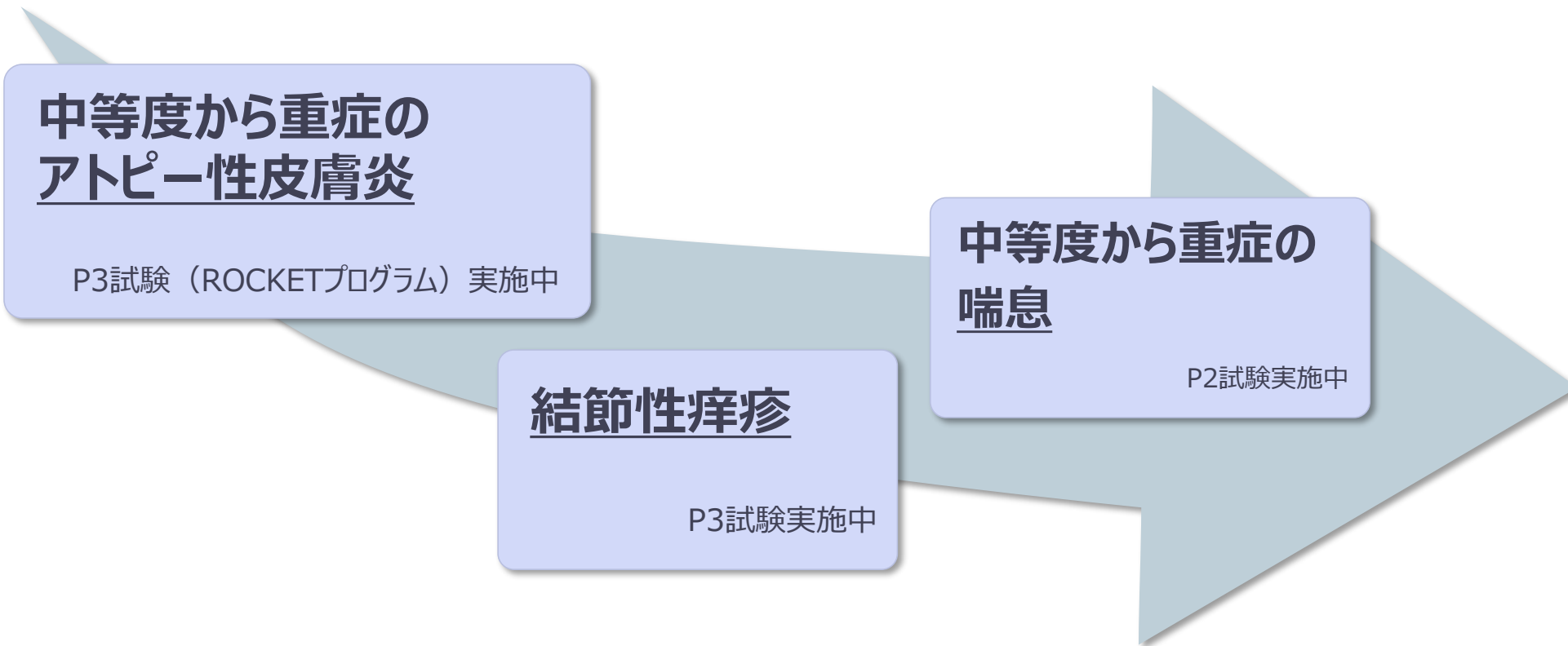


24週以降での安全性、有効性、および投薬中止後の効果持続性を検証するデザイン

* 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](https://clinicaltrials.gov/study/NCT05882877)を参照 (https://clinicaltrials.gov/study/NCT05882877)

抗OX40*抗体一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

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治療薬
- 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

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

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.

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)、ブリ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**

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

2025年2月6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

2025年2月6日現在

LCM	5/17	持続型G-CSF製剤ジーラスト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

2025年2月6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
LCM	11/1	尋常性乾癬治療剤ドボベツト軟膏・ゲル・フォームの販売提携契約終了に伴い、協和キリンからレオファーマ社へ販売を移管（日本）
ESG	11/15	LGBTQ+に関する取り組み指標「PRIDE指標」の「ゴールド」認定を3年連続で取得（日本）
SI	11/21	Kura Oncology社と急性白血病を対象とした経口メニン阻害剤ziftomenibの開発と販売に関するグローバルな戦略的提携契約を締結
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

2024年初来の主なニュース

分類 公表日

ニュース概要

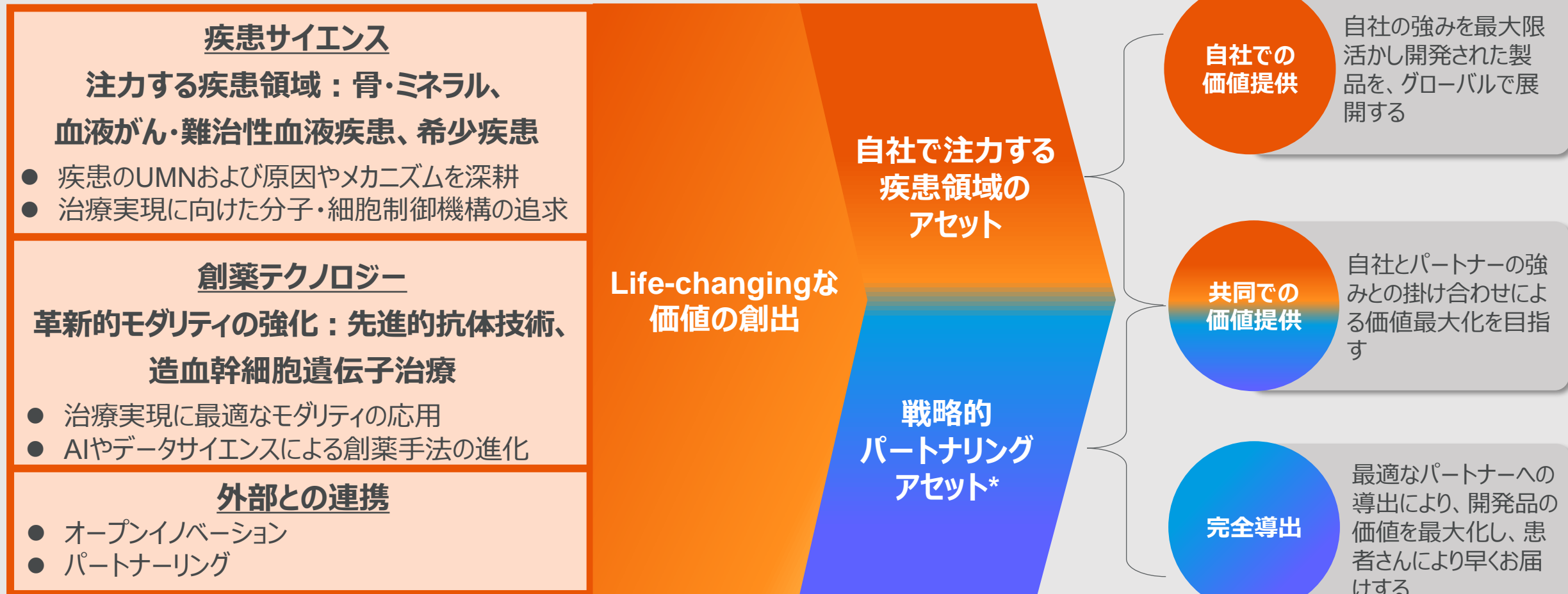
2025年2月6日現在

R&D	12/9	ziftomenibの第1相用量漸増試験KOMET-007における有望な試験データを米国血液学会（ASH）年次総会でKura Oncology社と共同で発表
MGMT	12/24	CDXO（Chief Digital Transformation Officer）設置と設置に伴う役員異動のお知らせ
R&D	1/20	自社独自のポテリジェント技術を搭載したモガリズムブを作成し、日本発、日本初のがん領域での抗体医薬品開発に成功した功績が認められ、第7回日本医療研究開発大賞における総理大臣賞を受賞（日本）
R&D	2/6	NPM1変異を有する再発・難治性AMLを対象にziftomenibの単剤療法を評価するKOMET-001試験の良好なトップラインデータを発表
前回決算発表からのアップデート		

Appendix

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

戦略投資について ~Life-changingな価値の継続的な創出に向けて

ポートフォリオ強化を目的とするライセンスイン、M&A投資

- 注力する疾患領域である、**骨・ミネラル、血液がん・難治性血液疾患、希少疾患**にプライオリティを置く

新たな強みを創造するサイエンス・テクノロジーへの投資

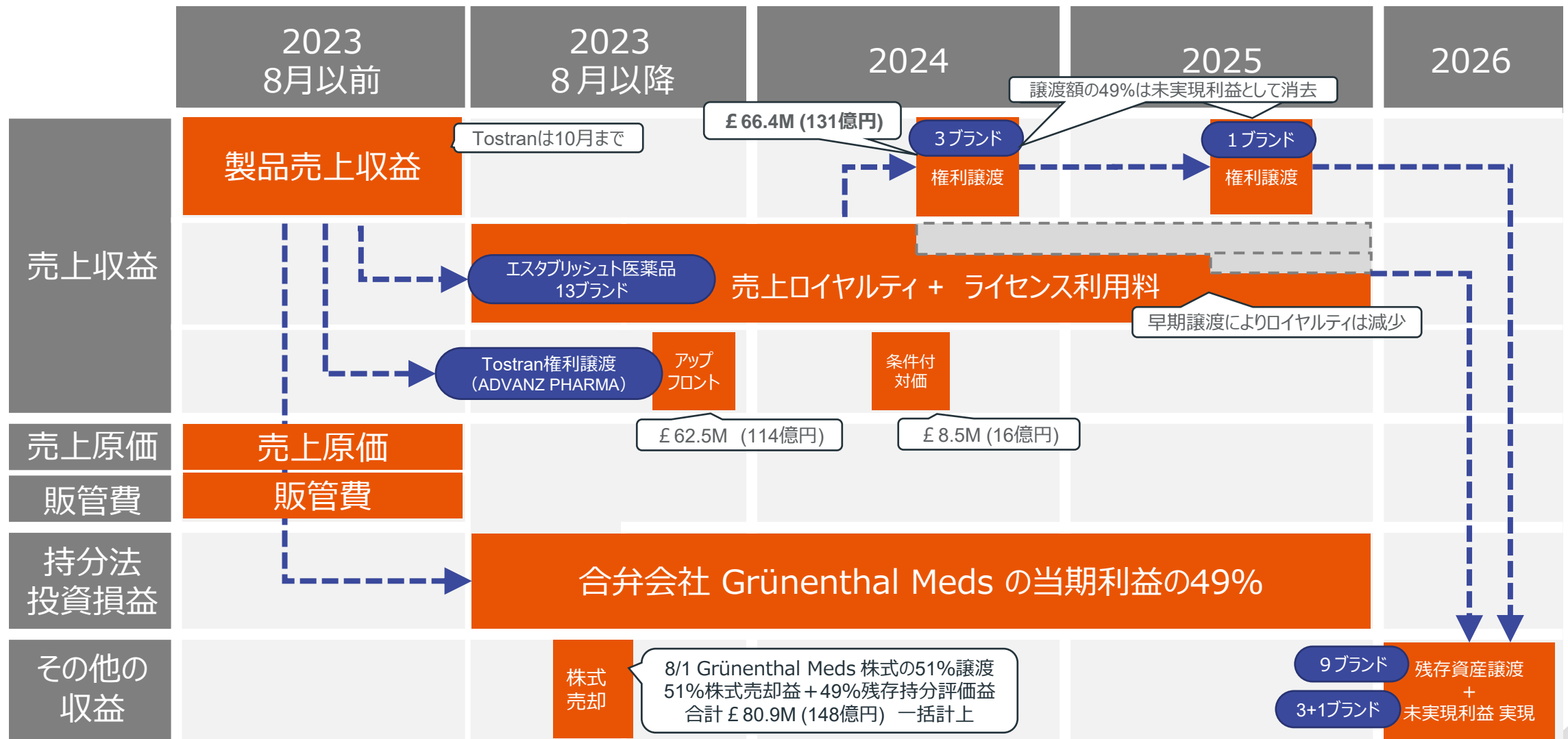
- 新たなモダリティや初期パイプラインの獲得、協業やコラボレーションの加速を目的とした投資
- 情報探索、アクセスを目的としたVC投資・CVC活動

2021-2025年中計キャッシュ・アロケーション*



*2021年2月4日公表の2021-2025年中期経営計画キャッシュ・アロケーション

欧州エスタブリッシュト医薬品事業の損益影響



- 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

Orchard Therapeutics社買収の企業結合会計

- ✓ 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)

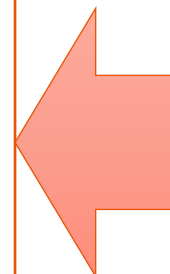
(単位 百万米ドル)

【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 (1)

	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
Rocatinlimab KHK4083/AMG 451	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
Infigratinib	軟骨無形成症	TBD	P3 (日本)	★	6K
Ziftomenib	急性骨髄性白血病 (NPM1変異又はKMT2A再構成)	再発・難治	2025 (単剤、米国)	★★★★	20K
		1次治療	TBD		
KHK4951 tivozanib 点眼	滲出型加齢黄斑変性	TBD	P2 (日・米)	★★★★	3810K
	糖尿病黄斑浮腫	TBD	P2 (日・米)	★★★★	3470K
OTL-203	ムコ多糖症I型 (Hurler症候群)	2029/2030	ピポタル試験*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 (2)

	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・アジア)	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)	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

プロダクト名	標的疾患	開発段階	2025	2026	2027	+
rocatinlimab (KHK4083/AMG 451)	中等度から重症の アトピー性皮膚炎 	IGNITE	P3	Q2 Topline data		
		HORIZON		H1 詳細データ発表		
		SHUTTLE		Q2 Topline data		
		ASTRO		 H2 Topline data		
		ORBIT				
		VOYAGER		Completed		
		ASCEND		 H2 Interim Data		
		OUTPOST				
	結節性痒疹	P3				
	中等度から重症の喘息	P2				

主要開発パイプライン：今後の予定

プロダクト名	標的疾患	開発段階	2025	2026	2027	+
ziftomenib	AML	KOMET-001 2L+ Mono	P2 ¹ (NPM1-r)	トプラインデータ発表		
	ALL		P1a ² (KMT2A-r)	進行中		
			P1a ² (non NPM1-m / KMT2A-r AML)	進行中		
	AML	KOMET-007 1L, 2L+ Combinations with cytarabine + daunorubicin (7+3), and venetoclax + azacitidine	P1a/P1b ³			
		KOMET-008 2L+ Combination with gilteritinib, FLAG-IDA, LDAC	P1a ²			
		KOMET-017 1L Combinations with cytarabine + daunorubicin (7+3), and venetoclax + azacitidine	P3			

1. 被験者は追跡調査のため試験への参加を継続; 2. 用量漸増試験を実施中; 3. 用量検証試験で現在被験者登録中

主要開発パイプライン：今後の予定

プロダクト名	標的疾患	開発段階	2025	2026	2027	+
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]			
KK2845	再発・難治性AML	P1	進行中			
KK8123	XLH	P1	[Progress bar]			

為替関連情報

期中平均為替レート

	2023年実績	2024年実績	前年比	2025年予想
米ドル (USD)	140円	151円	+11円	145円
英ポンド (GBP)	174円	193円	+19円	190円
ユーロ (EUR)	151円	164円	+13円	160円

2024年 為替影響額 (前年対比)

	売上収益	コア営業利益
米ドル (USD)	+148億円	+49億円
英ポンド (GBP)	+25億円	-0億円
ユーロ (EUR)	+41億円	+22億円

2025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	+16億円	+5億円
英ポンド (GBP)	1円安	+1億円	-0億円
ユーロ (EUR)	1円安	+3億円	+2億円

Ziftomenib ~Kura社とのコラボレーション~

アメリカ

アメリカ以外

	アメリカ	アメリカ以外
開発	<ul style="list-style-type: none"> • Kuraが開発主導 • 開発コストは両社で折半 • Kuraが開発コストを負担 (~2028) 	<ul style="list-style-type: none"> • 協和キリンが開発主導
販売	<ul style="list-style-type: none"> • Kuraが売上計上 • 50/50 プロフィットシェア 	<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支払
製品供給	<ul style="list-style-type: none"> • Kuraが供給 	<ul style="list-style-type: none"> • Kuraが供給

協和キリンは、330百万米ドルの契約一時金と、今後最大で1,161百万米ドルのマイルストーンを支払います。これらには、近い将来支払う可能性がある420百万米ドルのマイルストーン、固形がんに関するオプション権228百万米ドルおよび将来のグローバルな販売に対するロイヤルティ支払を含んでいます。

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トイン権利を保有 	<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

Crysvita ～Ultragenyx社とのコラボレーション～

経済条件

アメリカ・カナダ

- 協和キリンが売上計上
 - 発売後5年間は50/50プロフィットシェア
 - 発売後6年目(2023年4月27日)からはUltragenyxに段階的な販売ロイヤルティ支払い(20%台中～後半)
 - 製品供給価格は2022年度までは売上の35%、以降は30%
- ※Ultragenyxは販売ロイヤルティを受け取る権利の30%をOMERS Capital Marketsに譲渡 (上限:譲渡対価の1.45倍)

ヨーロッパ

- 協和キリンが売上計上
 - Ultragenyxに10%以下の販売ロイヤルティ支払い
- ※Ultragenyxは販売ロイヤルティを受け取る権利をRoyalty Pharmaに譲渡 (上限:上限到達時期により譲渡対価の1.9倍または2.5倍)

ラテンアメリカ

- Ultragenyxが売上計上
- 協和キリンは販売ロイヤルティ受け取り(1桁%台前半)
- 製品供給価格は2022年度までは売上の35%、以降は30%

トルコ

- Ultragenyxが売上計上
- 協和キリンは販売ロイヤルティ受け取り(20%以下)

アジア・その他

- 協和キリンが売上計上

※すべての地域において製品供給は協和キリンが行う。

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
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
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（Hurler症候群）
MPS-IIIA	Mucopolysaccharidosis type IIIA	ムコ多糖症IIIA型（Sanfilippo症候群A型）
NA	North America	北米
nAMD	neovascular Age-related Macular Degeneration	滲出型加齢黄斑変性
PD	Parkinson's Disease	パーキンソン病
PE	Preeclampsia	妊娠高血圧腎症
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 IR&PRグループ
03-5205-7206 / ir@kyowakirin.com