



協和キリン株式会社

2025 年度第 1 四半期決算説明会

2025 年 5 月 1 日

イベント概要

[イベント名] 2025 年度第 1 四半期決算説明会

[決算期] 2025 年度 第 1 四半期

[登壇者] 3 名

取締役副社長 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 Chief Strategy Officer 藤井 泰男 (以下、藤井)

登壇

司会：本日は協和キリン株式会社 2025 年 12 月期第 1 四半期決算に関するオンライン説明会にご参加いただきありがとうございます。説明会の開始に先立ちまして、注意事項がございます。本日もご参加いただいた皆様のお名前、および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願います。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ウェブサイトで公開いたしますので、その点もご了承の上でご発言いただきますよう、よろしくお願いいたします。

本日も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、その点もご了承ください。

本日のスピーカー、質疑応答は、取締役副社長 CMO、山下武美、常務執行役員 CFO、川口元彦、常務執行役員 CSO、藤井泰男の 3 名でございます。

本日のオンライン会議は、最大 90 分を予定しております。まず弊社から決算全体を説明したのち、皆様からのご質問をお受けいたします。資料につきましては、弊社 IR ウェブサイトからダウンロードをお願いいたします。

それではまず川口より、決算概況をご説明いたします。

Q1業績サマリー



(単位は億円、単位未満四捨五入)

	2024年 Q1実績	2025年 Q1実績	増減	2025年 予想	進捗率
売上収益 [海外売上比率]	1,056 [68%]	1,047 [73%]	-8 (-1%)	4,780 [73%]*	22%
売上総利益 [売上総利益率]	800 [76%]	801 [77%]	+2 (+0%)	3,520 [74%]	23%
販売費及び一般管理費 [販管费率]	402 [38%]	420 [40%]	+19 (+5%)	1,660 [35%]	25%
研究開発費 [研究開発費率]	233 [22%]	286 [27%]	+52 (+22%)	1,070 [22%]	27%
持分法投資損益	9	-9	-18 (-201%)	10	-91%
コア営業利益 [コア営業利益率]	174 [16%]	86 [8%]	-88 (-50%)	800 [17%]	11%
当期利益/四半期利益	146	62	-85 (-58%)	570	11%

* 2025年予想の(海外売上比率)は2025年2月6日に公表した予想値の70%から修正しています。

川口：はい。それでは 2025 年第 1 四半期の業績サマリーからご説明します。スライドの 5 ページ目をご覧ください。

前年同期比ですが、売上収益は 1,047 億円で、マイナス 8 億円、1%の減収、コア営業利益は 86 億円で、マイナス 88 億円、50%の減益、四半期利益は 62 億円で、マイナス 85 億円、58%の減益となりました。

売上収益については、北米および EMEA を中心に、グローバル戦略品が伸長しましたが、APAC リージョンの事業再編の影響や、日本での薬価基準引き下げの影響等により、1%の減収となりました。

コア営業利益については、売上総利益は前年並みでしたが、販管費が微増したことに加え、研究開発費が例年と比較して早く進捗しており、52 億円、22%の大幅な増加となったことから、50%の減益となりました。

四半期利益については、前年に固定資産売却益があった影響もあり、58%の減益となりました。

通期予想に対する進捗率ですが、売上収益、売上総利益がそれぞれ 22%、23%と年間の 4 分の 1 である 25%を下回っていますが、こちらは例年通り、年度の後半にかけて売上収益が伸びていく傾向ですので、第 1 四半期としては概ね計画線での進捗となっています。

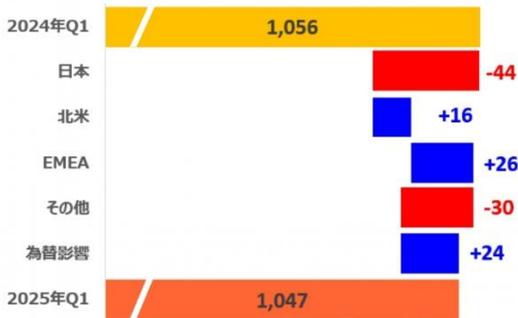
販売費及び一般管理費についても計画線で推移しています。

研究開発費については、例年 Q1 は低い進捗率となる傾向でしたが、2025 年 Q1 からアクティビティベースでの見積計上に変更した結果、各四半期の費用発生が平準化された影響等により、進捗率は 27%となっています。

これらの結果、コア営業利益、四半期利益は 11%と低めの進捗に見えておりますが、概ね計画の範囲内で進捗しています。引き続き Crysvida を中心とする主力品の売上成長、経費のコントロールにより、通期計画の達成を目指していきます。

対前年分析～売上収益～

売上収益 -8億円
(為替影響除き実質 -32億円)



● **日本 -44億円**

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、ドボベットの販売提携契約終了による減収(18億円)のほか、薬価改定や競合品の影響を受けたジールスタの減収により、日本リージョンは14%の減収。

● **北米 +16億円 (為替影響+17億円除く)**

Crysvita(+1%)・Poteligeo(+5%)がそれぞれ売上を伸ばし、北米リージョンは5%の増収。

● **EMEA +26億円 (為替影響+3億円除く)**

Crysvita(+20%)・Poteligeo(+31%)がそれぞれ売上を伸ばし、EMEAリージョンは16%の増収。

● **その他 -30億円 (為替影響+4億円除く)**

Libmeldy/Lenmeldyやファセンラ(ベンゾリスマブ)売上ロイヤルティが増加したものの、APACリージョンの事業再編影響等により12%の減収。

● **為替影響 +24億円**

USD +21億円、GBP +1億円、EUR +2億円

次に6ページをご覧ください。こちらはリージョン別の売上収益の対前年分析となります。本年からは為替影響除いた実質の増減を説明する様式に変更しています。

まず日本です。日本については、ダーブロック、フォゼベル、Crysvita がしっかりと成長を続けていますが、昨年12月で販売提携契約が終了したドボベットの減収、こちらは18億円です、や昨年4月の薬価改定の影響に加えて、バイオ後続品の影響を受けたジールスタの減少により、日本リージョンは14%の減収となりました。

北米については、為替影響プラスの17億円を除いた実質ベースでは16億円、5%の増収となりました。Crysvitaは現地通貨ベースで1%、Poteligeoは5%の成長となりました。

EMEAについては、為替影響3億円を除いた実質ベースでプラス26億円、16%の増収となりました。Crysvitaは20%、Poteligeoは31%の力強い成長となりました。

その他には、昨年までAPACとして区分掲記していた同地域のエスタブリッシュト医薬品等の売上も含めています。

ファセンラのロイヤルティの増加に加えて、造血幹細胞遺伝子治療のLibmeldy/Lenmeldyが米国での売上計上が始まり、大きく増加しましたが、APACリージョンの事業再編に伴う減収30億円により、12%の減収となりました。

売上収益にかかる為替影響はプラスの24億円でした。

～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	2024年 Q1実績	2025年 Q1実績	前年比	増減要因	2025年 予想	進捗率
Crysvita	378	424	+46 (+12%)		2,102	20%
日本	25	28	+3 (+13%)		131	21%
北米	228	241	+13 (+6%)	市場浸透		
EMEA	119	148	+29 (+24%)		1,971	20%
その他	6	8	+1 (+21%)			
Poteligeo	86	98	+12 (+13%)		454	22%
日本	4	3	-2 (-36%)		19	15%
北米	63	69	+6 (+10%)	市場浸透	341	20%
EMEA	19	26	+7 (+35%)		92	22%
その他	0	0	+0 (+80%)		3	11%
Libmeldy / Lenmeldy	11	21	+10 (+92%)			
米国	-	11	+11 (-)	市場浸透 (2024.3 米国FDA承認)	69	31%
EMEA	11	10	-1 (-5%)			
フォゼベル	6	15	+9 (+148%)	市場浸透(2024.2発売)	89	17%
ダーブロック	25	30	+5 (+22%)	市場浸透	155	19%
ネスブ+ネスブAG ¹	35	28	-7 (-19%)	薬価改定・競合品影響	116	24%
ジーラスタ	58	43	-15 (-26%)	薬価改定・競合品影響	170	25%
ロミブレート	30	34	+4 (+12%)	市場浸透	146	23%
技術収入	121	130	+8 (+7%)		523	25%
ペンタリスマブ ロイヤルティ ²	64	74	+10 (+16%)	ファセンラ伸長		

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

1. 正式名はタレベロ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 (当社独自の見極めを含む)
3. 海外アイテムは値引等控除後、為替影響込みの金額で表示しています。日本リージョンのアイテムは値引等控除前の金額を表示しています。

7

続いて7ページをお願いします。こちらは主要製品別の状況です。こちらのページは為替影響を含んだ数字になっております。

Crysvita は前年比プラス 46 億円、12%の増収と、北米、EMEA、日本の各地域で成長を続けています。

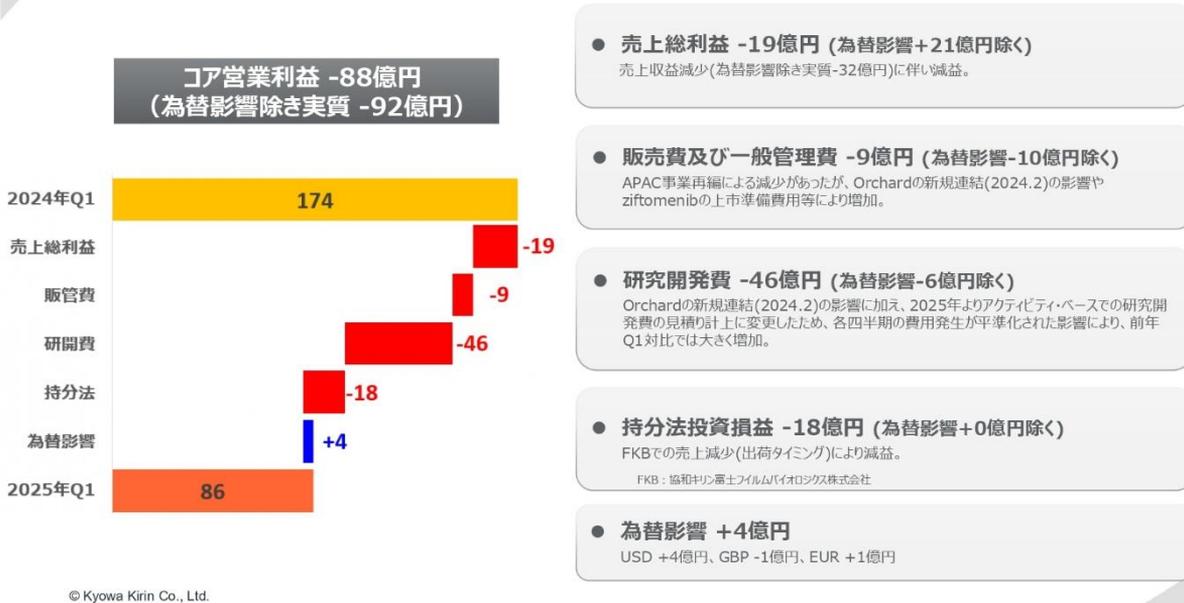
Poteligeo も前年比でプラス 12 億円、13%の増収と、北米、EMEA で成長を続けています。

Libmeldy/Lenmeldy ですが、堅調な欧州に加えて、今年に入って初めて米国で 2 名の売上計上があり、プラス 10 億円、92%の大幅な増収となりました。

ジーラスタは、競合品と薬価改定の影響によりマイナス 15 億円、26%の減収となりました。

技術収入は、ファセンラのロイヤルティの増加により、前年比プラス 8 億円、7%の増収となりました。

対前年分析～コア営業利益～



それでは 8 ページをお願いします。コア営業利益の対前年分析となります。こちらでも為替影響を除いた実質の増減の内訳を説明する様式に変更しています。

売上総利益は、売上収益の減少に伴い、為替影響 21 億円を除いて、実質 19 億円の減益となりました。

販売費及び一般管理費は、APAC の事業再編による減少がありましたが、昨年 2 月の Orchard の新規連結影響や、Ziftomenib の上市準備費用等により、販管費合計としては 9 億円の増加となりました。

研究開発費は、研究開発のプロジェクト経費に関して、2025 年より Activity Based Costing での見積計上に変更したため、各四半期の費用発生が平準化されると見込んでいます。

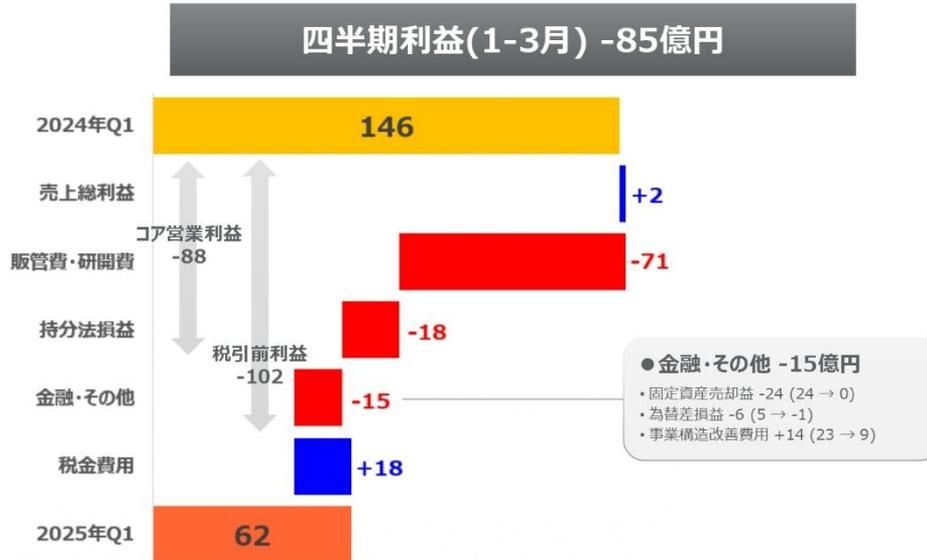
従来はインボイスベースで、Q1 の費用発生が少なく、Q4 に多めになる傾向がありましたので、前年の Q1 対比では増加幅が大きく見えますが、進捗としては計画通りと見ています。また、販管費と同様に、Orchard の新規連結による 1 カ月分の影響も前年比での増加要因となっています。

持分法投資利益は、昨年の 9 億円からマイナス 9 億円となり、18 億円減少しました。主に協和キリン富士フィルムバイオロジクス、FKB 社ですね、こちらでの出荷のタイミングにより、売上が減少したことによります。今年ファーストクォーターには出荷がゼロということでございます。

コア営業利益にかかる為替影響はプラスの 4 億円でした。

これらの結果、コア営業利益は、前年同期と比較して 88 億円の減益となりました。

対前年分析～四半期利益～



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

9

続いて9ページをお願いします。こちらのスライドではコア営業利益以下の部分をご紹介します。なお、このスライドは従来通り、為替影響込みの増減になります。

金融・その他は15億円減少しました。昨年は固定資産売却益がありましたので、対前年ではマイナスとなりました。この結果、四半期利益は前年同期と比較して85億円の減益となりました。



2025年キーアクション・Q1トピックス

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。

Q1トピックス

- GLOBAL: 売上収益前同比+12%、年度計画進捗率20% (例年並み)
- 北米：前同比 円貨ベース+6%、現地通貨ベース+1%
季節要因に伴う減収影響が昨年を上回り、現地通貨ベースでの成長は+1%成長に留まるも、季節要因を除けば着実な成長トレンドを継続。疾患啓発活動や患者支援プログラムの進化に向けた取り組みを推進。
- EMEA：前同比 円貨ベース+24%、現地通貨ベース+20%
患者浸透に伴う成長を継続。新規患者数は初めて成人が小児を上回った。DXを活用した新規患者さんの特定や成人XLH浸透に向けた取り組みを継続。
- 日本：前同比+13%
専任担当者を中心とするプロモーション活動や疾患啓発活動の強化が奏功。

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減少になることから売上収益に含めています。

北米売上収益 \$MM



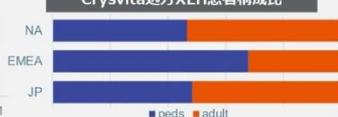
(参考) 北米Q4+Q1売上 \$MM



EMEA売上収益 £M



Crysvita処方XLH患者構成比



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

11

藤井：続いて、コマーシャルアップデートについて、藤井よりご説明いたします。11 ページにお進みください。

まずは Crysvida です。左下の円ベースの売上収益グラフは、Q1 売上と年間売上に関して、5 年間の推移を示しています。

25 年 Q1 の売上収益は、グローバル全体で 424 億円、前年同期対比でプラス 12%の増収と、着実な成長を続けています。

年度計画に対する進捗が 20%と少し遅れて見えますが、例年 Q1 は、スペシャリティファーマシーの Q4 在庫積み上げによる反動減や、年初保険切り替え手続きに伴う患者さんの負担増など、北米の季節要因を受けて、年度実績の 20%程度からスタートしていますので、大きな心配はしておりません。

右下には、為替影響を除いた成長をご確認いただくため、北米および EMEA の現地通貨ベースの売上推移を示しています。

さらに北米については、スペシャリティファーマシーの在庫増減に伴う影響を簡易的に排除するため、前年 Q4 と当年 Q1 を合算した現地通貨ベースでの売上推移も示しております。

北米の季節要因は、2 月の説明会時に見ていたよりも大きく、現地通貨ベースの売上は 1%成長にとどまりましたが、季節要因を除けば、しっかりとした成長を示しています。引き続きの疾患啓発に加え、患者さんへの浸透とともに、多様化するニーズに対応し、患者支援プログラムを進化することで、引き続きの成長を目指してまいります。

EMEA では、患者さんの浸透を通じて、現地通貨ベースでも安定した成長を続けています。価格面では、昨年成人で保険償還された英国など、一部地域で薬価引き下げ影響を受けておりますが、それを上回る患者浸透が成長を牽引しております。

また、EMEA では、段階的に市場を拡大していることから、他の地域に比べて成人への浸透が遅れておりますが、この第 1 四半期の新規患者数では、初めて成人の新規患者数が小児の新規患者数を上回りました。

日本でも専任体制が定着して、着実な成長を続けています。

2025年キーアクション・Q1トピックス

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プロモーション活動を進化させる。

Q1トピックス

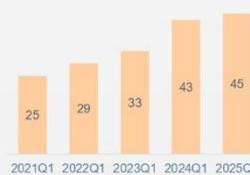
- GLOBAL：売上収益前同比+13%、年度計画進捗率22%（例年並み）
- 北米：前同比 円貨ベース+10%、現地通貨ベース+5%
Q1期間を通じ、Specialty Pharmacyの在庫圧縮に伴う減収影響を受けたものの、営業組織強化やAI技術を活用したプロモーション活動の進化に加え、堅調な実需による下支えもあり、現地通貨ベース売上の対前年同期比較でも微増。
- EMEA：前同比円貨ベース+35%、現地通貨ベース+31%
EMEA全域での患者浸透や、皮膚病変が主となる早期症例に拡大したプロモーション活動等を通じて成長を継続。

売上収益 (億円)

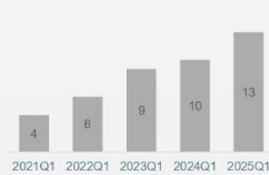


*EAP (Early Access Program) による収益は2022年度まで売上収益に含めず、2023年度以降は金額的に僅少なることから売上収益に含めています。

北米売上収益 \$MM



EMEA売上収益 £M



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

12

12 ページをお願いします。

続いて、Poteligeo です。Q1 の売上収益は、グローバル全体で 98 億円、前年同期対比でプラス 13%の増収、年度計画対比 22%の進捗と、概ね計画通り着実な成長を続けております。

北米の現地通貨ベース売上は、微増ながら成長を続けています。

実需は引き続き堅調で、エビデンスを活用したプロモーションを通じて、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、マシンラーニングや AI 技術のプロモーション活動への活用、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への進化なども力強い成長に繋がっています。

一方、この Q1 においては、北米のスペシャリティファーマシー在庫が期を通じて圧縮されました。Poteligeo には、Crysvita のような顕著な季節性はございませんが、特に第 1 四半期末の在庫水準が圧縮されたため、堅調な実需を相殺して、Q1 の売上は微増にとどまりました。実需が堅調であることから、今後の成長には心配をしております。

欧州でもマーケティング体制の強化や地域的な拡大に加え、北米に続き、皮膚症状を呈する患者さんに対するアクセスも開始しており、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います。コマーシャルアップデートは以上となります。

開発パイプライン ニュースフロー

新規追加情報をオレンジで表記

Kyowa KIRIN
2025年5月1日現在

プロダクト	対象疾患	イベント	ステータス
rocatinlimab KHK4083/AMG 451	中等症から重症のアトピー性皮膚炎	ROCKET HORIZON (P3) 詳細データ発表 ROCKET IGNITE, SHUTTLE, VOYAGER (P3) トップラインデータ発表	2025年3月
		ROCKET ASCEND, ASTRO (P3) トップラインデータ	2025年下期
	結節性痒疹	P3	進行中
	中等症から重症の喘息	P2	進行中
ziftomenib	AML (2L+単剤)	KOMET-001 P2セクション 詳細データ発表 承認申請	2025年Q2
	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	進行中
KK3910	本態性高血圧	P1 開始	2025年4月

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

14

山下：次に、R&D アップデートを山下より紹介いたします。14 ページにお進みください。

開発パイプラインについて、前回の決算からの変更点を赤字で示しています。

Rocatinlimab ですが、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、今年の 3 月に HORIZON 試験の詳細データ発表、IGNITE、SHUTTLE、VOYAGER のトップラインデータの発表を行いました。この内容については後ほど改めてご紹介いたします。

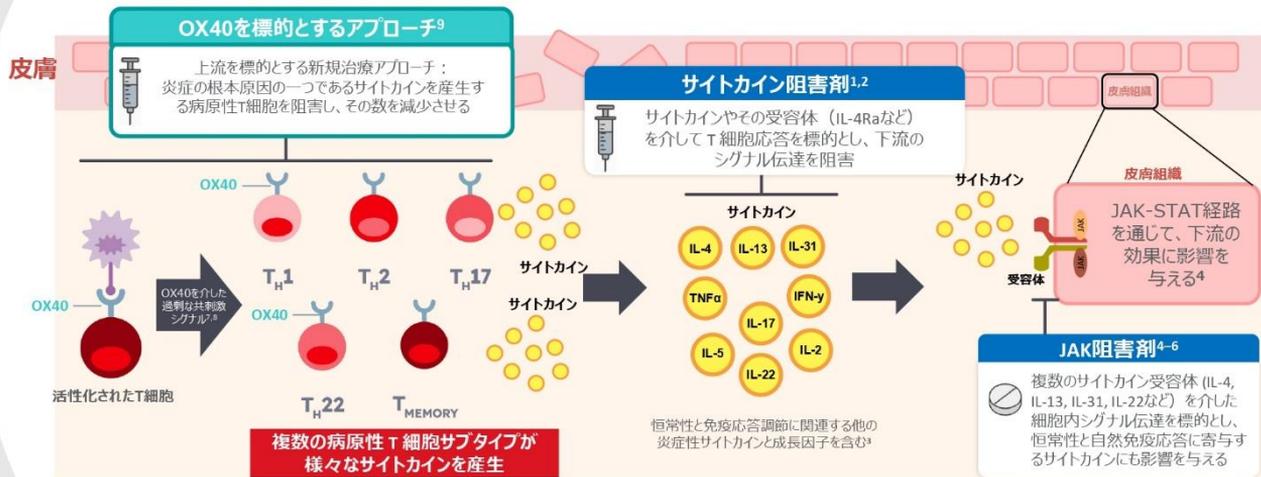
今年の下期には、ROCKET ASCEND、および ASTRO 試験のトップラインデータのリードアウトを予定しています。

続いて、Ziftomenib です。今年の 4 月に FDA に対して、NPM1 変異を有する AML を対象とした単剤セカンドラインでの承認申請を行っております。

また第 2 四半期中に、この申請に用いた KOMET-001 試験のフェーズ 2 パートについての学会発表を予定しております。

そして一番下に記載しておりますが、新たな開発品として、KK3910 のフェーズ 1 試験を 4 月に開始いたしました。こちらは本態性高血圧に対して抗体医薬品を開発しようとするものです。

OX40を介して病原性T細胞を狙う新たなアプローチで 中等症から重症のアトピー性皮膚炎の新規治療法の提供を目指す¹⁰



AD, atopic dermatitis; IFN-γ, interferon gamma; IL, interleukin; IL-4Ra, interleukin 4 receptor alpha; JAK, Janus kinase; JAK-STAT, Janus kinase-signal transducer and activator of transcription; TH, T helper cell; TNFα, tumor necrosis factor alpha.
¹ Bieber T. *Nat Rev Drug Discov.* 2022;21:21-40. ² LEO Pharma. *Prescribing information.* 2023. [Accessed Jan 2023]. ³ Huang H, et al. *Front Immunol.* 2022;13:1068260. ⁴ Kamata M, Tada Y. *JID Innov.* 2023;3(3):100195. ⁵ Wollenberg A, et al. *J Eur Acad Dermatol Venerol.* 2020;34:2717-2744. ⁶ Pavel AB, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2019;144:1011-1024. ⁷ Zheng C, et al. *Front Immunol.* 2023;14:1081999. ⁸ Zhang Q, Vignali DAA. *Immunity.* 2016;44(5):1034-51. ⁹ Bieber T. *Nat Rev Drug Discov.* 2022;21:21-40. ¹⁰ Croft M, et al. *Am J Clin Dermatol.* 2024;25(3):447-461.

15 © Kyowa Kirin Co., Ltd.

rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

KYOWA KIRIN

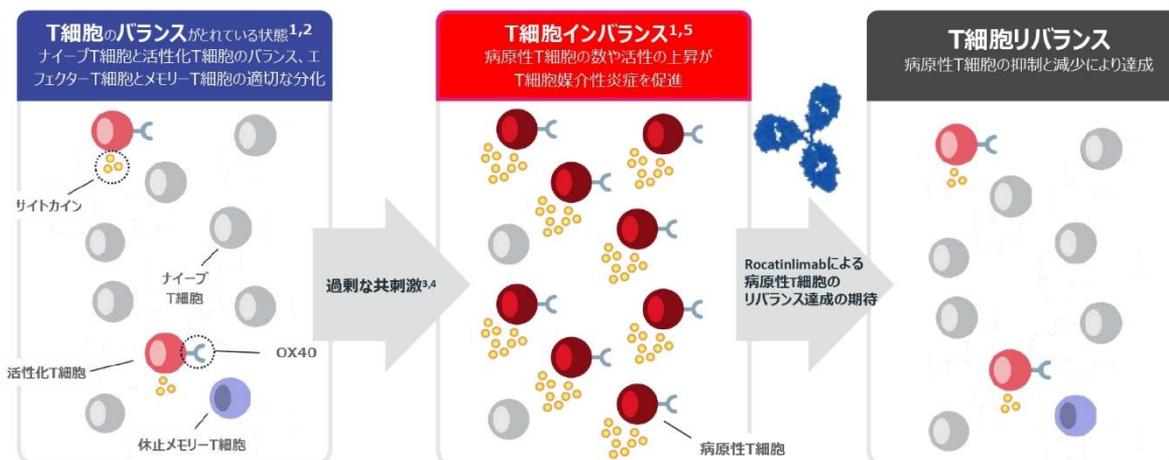
ここからは Rocatinlimab について、3月に実施した説明会の内容に再度触れながら、各試験結果と今後の予定をご紹介します。

まずアトピー性皮膚炎の惹起メカニズムと、それに対する全身療法について説明いたします。

既存の治療法としては、スライド中央のT細胞の活性化の結果として生じたサイトカインに対する阻害剤や、その右に示したサイトカインシグナルを抑制するJAK阻害剤がございます。これらの薬剤は既に起こっている炎症の火を消すような形で疾患をコントロールしようとするものです。

Rocatinlimabは、疾患惹起メカニズムの上流に位置する炎症の元となる活性化した病原性T細胞に作用し、いわば火を出さないようにコントロールすることが期待できるものです。

T細胞リバランス：炎症性疾患の根本原因の一つであるT細胞インバランスを改善し、広範囲かつ持続的な治療効果を目指す **KYOWA KIRIN**



OX40を介して病原性T細胞を直接標的とする新規作用機序で、炎症性疾患の根本原因の一つであるT細胞インバランスを改善し、T細胞リバランスの実現を期待
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

1. Croft M, et al. *Am J Clin Dermatol*. 2024;25(3):447-461. 2. Sun L, et al. *Signal Transduct Target Ther*. 2023;8(1):235. 3. Zhang Q, Vignali DAA. *Immunity*. 2016;44(5):1034-1051. 4. Zheng C, et al. *Front Immunol*. 2023;14:1081999. 5. Sadrolashrafi K, et al. *Cells*. 2024;13(7):587.
 © Kyowa Kirin Co., Ltd. rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

本来T細胞は、左の図のように、ごく安静な状態にあって、必要な免疫反応のために一部のT細胞が活性化されているのが通常です。

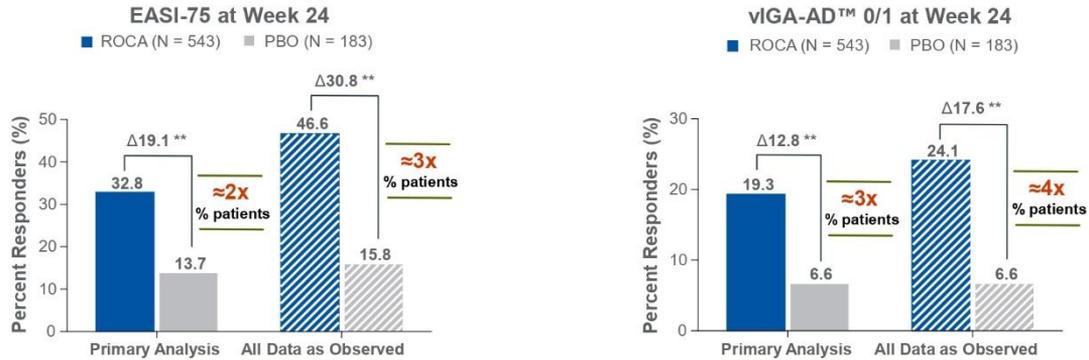
中等度から重度のアトピー性皮膚炎の患者さんでは、中央の図のように、サイトカインを大量に放出する活性化した病原性T細胞が過剰に存在した、異常な状態になっています。これをTセルインバランスと呼んでいます。

T細胞は活性化されると同時に、その細胞表面にOX40を発現するようになります。RocatinlimabはこのOX40に結合する抗体医薬で、活性化T細胞を減少させる効果を有しています。すなわち真ん中の図のように、病原性T細胞が異常に増えたTセルインバランスのところにRocatinlimabを投与すると、選択的に活性化した病原性T細胞を減少させて、右の図のように、T細胞の状態を正常化させていくこと、すなわちT細胞リバランスを実現できると考えています。

また、一度活性化したT細胞は、メモリーT細胞としてとどまって、炎症の再発や慢性化にも寄与することが知られていますが、RocatinlimabはこのメモリーT細胞も減少させることができるため、既存の全身療法に比べて、長期にわたり治療効果を発揮する可能性があると考えています。

ROCKET HORIZON試験：EASI-75, vIGA-AD™ 0/1（24週時点）

Primary Analysis set（レスキュー治療を使用した患者さんの集団をノンレスポナーに分類）
All Data as Observed（レスキュー治療の有無に関係なく、観察データに基づいて解析された患者集団）



- rocatinlimab群は主要評価項目を達成した
- レスキュー治療の有無に関わらず、患者さんを観察されたデータ通りに分析したところ、rocatinlimab群でプラセボ群と比較してより多くの患者さんがEASI-75やvIGA-AD™0/1を達成した

** P < 0.001. 日本語直訳：値は共通の差を示す。P値はベースラインの疾患重症度及び地域の層別因子で調整した Cochran-Mantel Haenszel (CMH) 検定により算出した。N = number of patients in the full analysis set. EASI-75, $\geq 75\%$ reduction in Eczema Area and Severity Index score from baseline; PBO, placebo; ROCA, rocatinlimab; vIGA-AD™, validated Investigator Global Assessment for atopic dermatitis.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

17

ここからはフェーズ3、ROCKET プログラムの進捗をご紹介します。

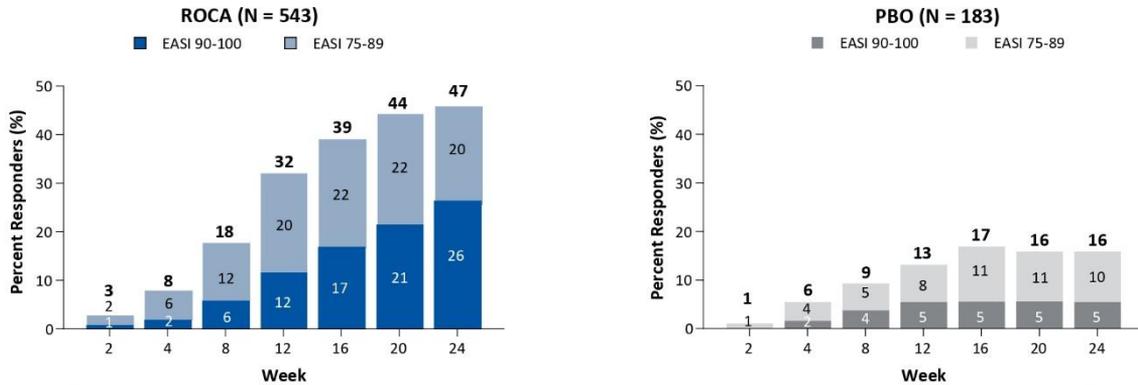
最初に、ROCKET HORIZON 試験のデータをお示しします。昨年のトップラインデータの発表の際は、レスキュー療法をノンレスポナーと見なした Primary Analysis の結果だけを紹介し、主要評価項目を達成したことをお知らせいたしました。

ここでは、これに加えて、レスキュー治療の有無にかかわらず、結果を解析した All Data as Observed を掲示しています。

レスキュー治療を含めると、プラセボに対して、Rocatinlimab はより大きな差を示しており、レスキュー治療をした患者さんに対しても治療効果を示しているということが考えられます。

ROCKET HORIZON試験：EASI 75-89, EASI 90-100（24週時点）

All data as observed（レスキュー治療の有無に関係なく、観察データに基づいて解析された患者集団）



rocatinlimab投与群では、ほとんど完全な皮膚症状の寛解（EASI 90-100）を達成した患者さんの割合が24週目まで継続的に増加

Values above bars indicate the percent of patients that were EASI-75 responders.
EASI, Eczema Area and Severity Index; EASI-75, ≥ 75% reduction in Eczema Area and Severity Index score from baseline; EASI 75-89, ≥ 75% to ≤ 89% reduction in EASI score from baseline; EASI 90-100, ≥ 90% to ≤ 100% reduction in EASI score from baseline; PBO, placebo; ROCA, rocatinlimab.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

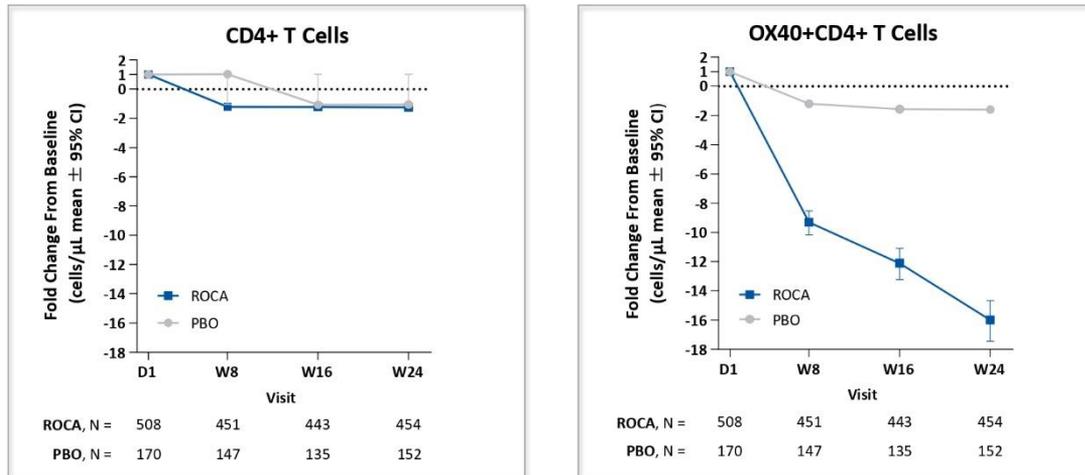
rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

18

こちらは先ほど示した All Data as Observed の結果を用いて、EASI 75 以上のスコアの推移を紹介しています。

左のグラフでご覧いただけるように、Rocatinlimab の投与群では、EASI 90 以上を達成した患者さんの割合が継続的に増加しており、24 週付近でもまだプラトーに達していないことが示唆されました。24 週以降の長期的な有効性や安全性を評価する ASCEND 試験において、この薬剤の特性がさらに明らかになることが期待されます。

ROCKET HORIZON試験：rocatinlimab投与後におけるT細胞数の時間経過



rocatinlimabは従来のT細胞*は減少させず、OX40+T細胞を特異的に減少させた

*制御性T細胞ではないCD4+T細胞として定義され、エフェクター細胞とメモリー細胞が含まれる。CD, cluster of differentiation; D, Day; PBO, placebo; ROCA, rocatinlimab; W, Week.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

19

Rocatinlimab は病原性 T 細胞を減少させることが期待できると申し上げましたが、こちらのデータはそれを裏付けるものです。

プラセボ群と Rocatinlimab 群の間で、CD4 陽性 T 細胞の総数には差がございませんでした。しかしながら、右の図が示すように、この中に含まれる活性化した T 細胞の数は、Rocatinlimab の投与群で日を追うごとに減少していくことが確認できております。

ROCKET IGNITE, SHUTTLE, VOYAGER トップラインデータ

https://ir.kyowakirin.com/ja/news/news-2417652976282928570/main/00/link/20250308_rev.pdf



単剤

主要評価項目*	rocatinlimab 高用量 (24週時点)		rocatinlimab 低用量 (24週時点)	
	%	プラセボとの差 (p-value)	%	プラセボとの差 (p-value)
EASI-75	42.3	29.5 (p<0.001)	36.3	23.4 (p<0.001)
vIGA-AD 0/1	23.6	14.9 (p<0.001)	19.1	10.3 (p=0.002)
rIGA0/1	22.7	14.4 (p<0.001)	16.3	8.0 (p=0.01)



外用剤併用

主要評価項目*	rocatinlimab 高用量 (24週時点)		rocatinlimab 低用量 (24週時点)	
	%	プラセボとの差 (p-value)	%	プラセボとの差 (p-value)
EASI-75	52.3	28.7 (p<0.001)	54.1	30.4 (p<0.001)
vIGA-AD 0/1	26.1	13.8 (p<0.001)	25.8	13.5 (p<0.001)
rIGA0/1	23.3	11.5 (p<0.001)	22.7	10.9 (p=0.002)



ワクチン反応性

rocatinlimab投与が破傷風および髄膜炎菌ワクチンへの免疫反応性を妨げないことを確認

*米国ではrevised Investigator Global Assessment (rIGA) が vIGA に代わり主要評価項目となる

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

20

こちらは ROCKET IGNITE、SHUTTLE、VOYAGER 試験のトップラインデータのまとめです。

IGNITE 試験では、単剤で二つの用量、SHUTTLE では外用剤を併用した試験ですが、どちらも主要評価項目、および主要な副次評価項目を達成いたしました。

VOYAGER では、Rocatinlimab がワクチン接種による免疫獲得反応を妨げないことを確認したものです。Rocatinlimab は、これまで発表した四つの試験全てで主要評価項目を達成しております。



ROCKETプログラム 現在までの試験結果まとめ

ROCKET HORIZON 詳細結果@2025 AAD Late-breaking abstract

- 単剤300mg 4週に1回投与（※2週目にLoading dose）で主要評価項目、副次評価項目を達成した
- EASI 90-100を達成する患者さんの割合が時間経過とともに増加しており、24週時点でもまだ平衡状態に達していなかった
- 有害事象はP2試験と同様だった

新規トップラインデータ

- **ROCKET IGNITE**：両用量で主要評価項目、副次評価項目を達成した。HORIZONよりも高い有効性指標のスコアが確認され、かつ24週で効果は平衡状態に達していなかった
- **ROCKET SHUTTLE**：両用量で主要評価項目と副次評価項目を達成した
- **ROCKET VOYAGER**：ワクチンの免疫応答性に影響を与えなかった

総合

- **4試験すべて（中等症から重症の成人AD患者さん合計2,400例以上）で主要評価項目を達成**
- rocatinlimab投与群で観察された頻度の高い有害事象（発生率 \geq 5%）は、発熱、悪寒、頭痛。発熱と悪寒は主に初回投与後に観察され48時間以内に改善した
- 有害事象として消化管潰瘍の事象がプラセボ群と比較してrocatinlimab投与群で高かった（発生率は1%未満）

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

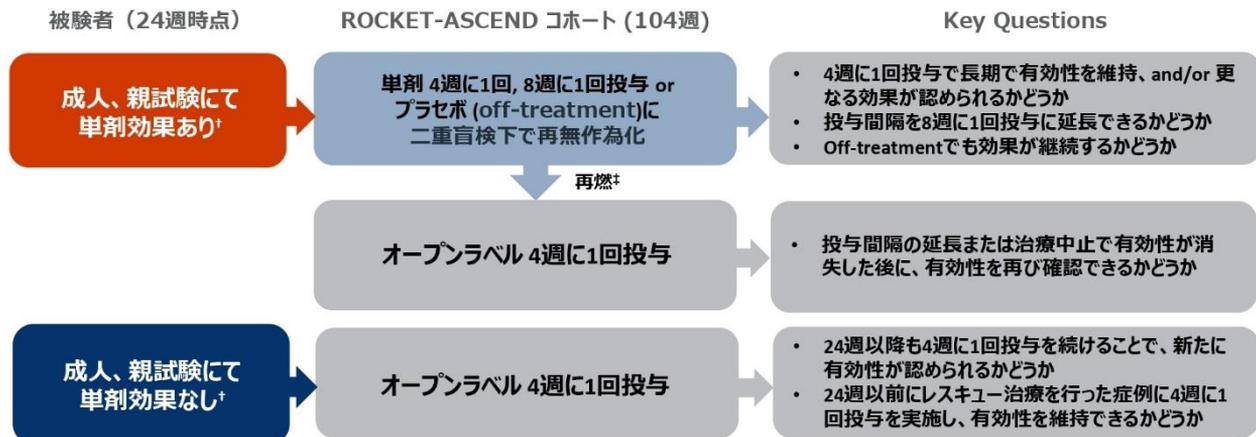
21

これまでの結果をまとめております。

ROCKET HORIZON のさらなるデータ分析の結果、極めて高い治癒を示す EASI 90 以上を達成した患者さんの割合が、24 週時点でまだ増加傾向にございました。

IGNITE、SHUTTLE、VOYAGER の試験はいずれも良好な結果を得ており、四つの試験全てにおいて主要評価項目と副次評価項目を達成しております。

有害事象は、消化管潰瘍が発生率 1%未満で認められました。フェーズ 2 試験でも見られた発熱や悪寒などについては、主に初回投与のみで、48 時間以内には解消することも確認できております。

今後の予定: ROCKET-ASCEND試験デザイン (成人コホート^{1,*})

*追加データは青年期患者さんを対象に、4週ごとの維持、8週ごとの延長、および治療中止 (not shown) を含む。†効果ありの症例は、レスキュー治療を使用せずに24週目にEASI-75および/またはvIGA 0/1を達成した者と定義される。

‡再発は親試験のベースラインから親試験の24週目のEASI反応率の改善から少なくとも50%の減弱、またはADに対するレスキュー治療の開始と定義される。

AD, atopic dermatitis; EASI, Eczema Area and Severity Index; EASI-75, $\geq 75\%$ reduction in EASI score from baseline; PBO, placebo; Q4W, every 4 weeks; Q8W, every 8 weeks; vIGA-AD™, validated Investigator Global Assessment for AD; Wk, Week.

1. Guttman-Yassky E, et al. [Published online ahead of print February 26, 2025]. Immunotherapy.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

rocatinlimabは現在臨床試験を実施中であり、現時点で有効性と安全性はいずれの保健当局によっても評価されていません。

22

ASCEND 試験について簡単に紹介します。

この試験は、既に親試験で24週の評価を受けた被験者の方に継続的に参加いただき、長期にわたって有効性と安全性を確認するものです。

これにより Rocatinlimab をさまざまなパターンで使用した場合のデータを取得することができます。例えば HORIZON や IGNITE 試験の単剤治療を受けた患者さん、この中で単剤効果ありと判定された患者さんでは、引き続き4週の1回投与を継続する群、投与間隔を8週に1回に延長した群、またはプラセボ群というふうに切り替えて、治療効果の継続性であるとか、治療間隔の延長した場合の状況、または休薬後治療効果がいつまで続くか、こういったことがわかっていく見込みでございます。

また、先の試験で単剤治療効果なしと判定された患者さんにおいても、治療を継続することで、24週以降に治療効果が現れるかどうかということもわかってきます。

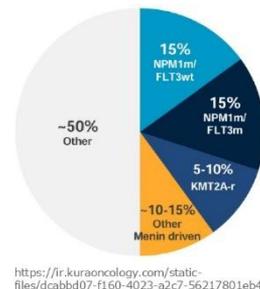
先ほどご紹介した EASI-90 が Rocatinlimab の24週時点では、まだ増加傾向にあったということ踏まえると、この長期にわたる試験で、Rocatinlimab の特性と他剤との差別化がより明らかになってくだろうと期待しているところです。

Ziftomenib アップデート

KYOWA KIRIN

プロダクト概要

- 経口低分子メニン阻害剤
- 対象疾患：NPM1変異またはKMT2A再構成を有する急性骨髄性白血病（AML）
 - 米国では年間20,800名が新規にAMLの診断を受ける¹
 - AMLの約半分がメニン依存性と考えられている²⁻⁶
 - 寛解を達成した患者さんのうち最大70%で3年以内に再発⁷



進捗状況

- NPM1変異を有する再発・難治性の成人AMLを対象としてFDAに承認申請（2025/04/08 プレスリリース）
- P2試験 KOMET-001（2L+・単剤）の結果をASCO年次総会にて発表予定
- P3試験 KOMET-017（1L・併用）試験を2025年下期に開始予定

1. American Cancer Society. Updated June 5, 2024. Accessed August 27, 2024. <https://www.cancer.org/cancer/types/myeloid-leukemia/about/key-statistics.html>; 2. Issa GC et al. Leukemia. 2021;35(9):2482-2495. doi:10.1038/s41375-021-01309-y; 3. Candori A, Coppola G. Hematol Rep. 2024;16(2):244-254. doi:10.3390/hematolrep1602024; 4. Bertrams EJM et al. Haematologica. 2023;108(8):2044-2058. doi:10.3324/haematol.2022.281653; 5. National Cancer Institute. Accessed October 16, 2024. <https://seer.cancer.gov/seertools/hemelymph/5116cd59e3e27c3994bd547d/>; 6. National Cancer Institute. Accessed October 16, 2024. <https://seer.cancer.gov/seertools/hemelymph/5a7e288d1ef5579c8636d31/>; 7. Kumar CC. Genes Cancer. 2011;2(2):95-107. doi:10.1177/1947601911408076

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

23

Ziftomenib の進捗をご紹介します。

本プロダクトは経口の低分子メニン阻害剤であり、対象疾患は NPM1 変異、または KMT2A 再構成を有する AML です。米国では年間 2 万 800 名の新規の AML の患者さんが診断され、AML のうちの約半分がメニン依存性と考えられています。AML は再発率が高く、新たな治療法の誕生が望まれています。

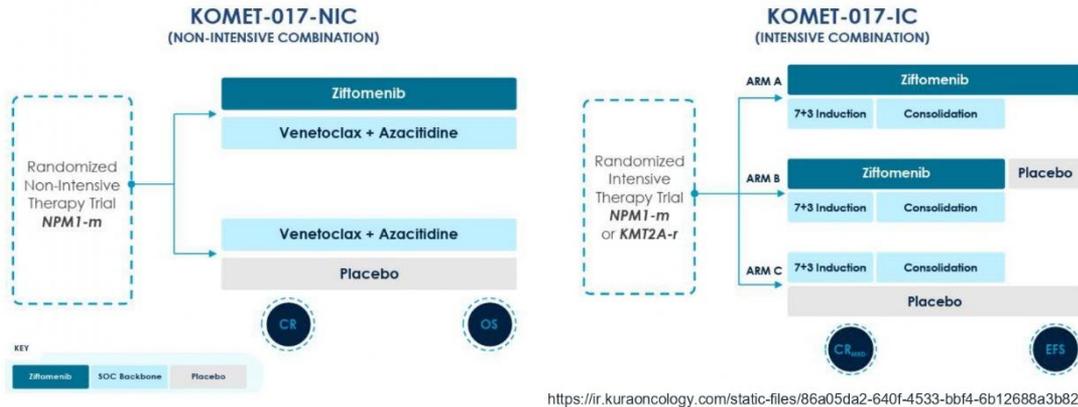
本プロダクトは、先月プレスリリースしましたように、NPM1 変異を有する再発・難治の成人 AML を対象として、FDA に新承認申請を行っております。

また、この申請に用いた P2 試験 KOMET-001 の結果を今年の ASCO で発表する予定でございます。

また、今年の下期にはファーストラインを対象としたフェーズ 3 試験、KOMET-017 を開始する予定でございます。

KOMET-017試験デザイン

1Lを対象に含む併用P1試験（KOMET-007, 2024年にASHで結果発表済み）にて良好な成績を示したことから、1Lを対象にした併用P3試験を実施



広範囲のAML患者さんを対象とする新規治療オプションの提供を目指す

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

24

ただいま申し上げた KOMET-017 試験のデザインをご紹介します。

この試験は、先立って実施したフェーズ 1 試験である KOMET-007 試験において、ファーストラインを対象とした他剤併用で良好な成績を得たことを踏まえて、承認取得を目指して、この試験を実施する予定です。

本試験では、NIC、低強度の化学療法の併用群、それから IC、強力化学療法との併用群、この二つの群を対象に Ziftomenib の上乘せ効果を検証するものです。

メニン阻害剤という新しいクラスの治療薬が AML 患者さんの治療にこれから大きく貢献していくことが期待されている中で、このような試験を通して、新たな治療オプションをいち早く提供できるように努力してまいりたいと思います。R&D アップデートについては以上でございます。

2025年初来の主なニュース

分類	公表日	ニュース概要	2025年5月1日現在
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マブを作成し、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試験の良好なトプラインデータを発表	
R&D	2/27	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の第3相臨床試験ROCKET-HORIZONの試験結果をAAD2025(米国皮膚科学会年次総会)におけるレイトプレイキング アブストラクトで発表	
LCM	3/7	提携先のサンド社が抗CD20モノクローナル抗体リツキシマブBSについて難治性のネフローゼ症候群を対象とした承認事項一部変更承認を取得（日本）	
R&D	3/8	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の第3相臨床試験ROCKET PROGRAMのうちROCKET-IGNITEを含む3試験に関するトプライン試験結果を発表	
ESG	3/11	経済産業省より「健康経営優良法人2025(ホワイト500)」認定を取得（日本）	
R&D	4/8	急性白血病を対象とした経口メチン阻害剤ziftomenibの新薬承認申請をKura Oncology社と共同で米国食品医薬品局(FDA)に提出	
SCM	4/11	高崎工場に新たなバイオ医薬品原薬製造棟であるHB7棟を竣工（日本）	
			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: 戦略的パートナーシップ、MKT: マーケティング、MGMT: 経営

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

26

藤井: 26 ページになります。年初来ニュースを掲載しております。

R&D セクションと重複する内容のご説明は割愛いたしますが、3月初め、高崎工場内に新たなバイオ医薬品原薬製造棟である HB7 棟を竣工いたしました。

この HB7 を含む高崎工場と、昨年建設を発表したノースカロライナ州サンフォード工場を活用したグローバルな生産体制を構築しつつ、グローバルレベルの技術と人材の循環を目指すとともに、初期開発から後期開発品および上市初期まで、主に自社内のバイオ医薬製造を完遂することで、開発の加速化を目指してまいります。本日のご説明は以上です。

質疑応答

司会 [M]：それではこれより質疑応答に移りたいと思います。

山口 [Q]：よろしくお祈いします。決算の中で直接ご説明がなかったんですけども、アメリカにおける関税について、御社は Crysvida も含めて、多分日本で作って持って行ってと思うんですけど、試算等々ございましたら教えていただけるとありがたいです。これが一つ目です。

川口 [A]：アメリカにおける医薬品に関する課税ということなんですが、ご承知の通り、この医薬品にかかる関税については、現時点で不確定で、不確実な要素が多くて、具体的な影響額というのを見通すことが今現時点では難しいということです。

ただし、もちろん社内ではさまざまなシナリオ、可能性を分析、それから試算して、その対応を検討、議論しているところなんですが、足元のこの不確実な状況で、対外的にはお話しできないということになるかと思います。

山口 [Q]：製造に関しても、どこで何を作って、どこに持っていくというのは、それと同じようなレベルの情報だから、結局開示の対象にならないという感じですかね。

川口 [A]：はい、ご理解の通りで、製品ごとのサプライチェーン、製造場所も含めて、サプライチェーンの詳細に関しては、ちょっと企業秘密ということで非開示にさせていただいております。

山口 [Q]：わかりました。ありがとうございます。二つ目が Crysvida についてです。実態の数字は、デマンドは好調ということなんですけれども、この Q4 と Q1 の数字のぶれというのは結構激しゅうございます。御社のコメントも、自社販売されているんだけれども、在庫なのかどうなのかというのが結構後付けでわかるようなことも多いかと思います。特に前 Q4 は在庫増が結構大きかったような印象があります。

それをある意味で標準化させるようなアクティビティ、あるいは出ちゃったらそれだけ出たということをして事前に開示するようなアクティビティ、この Crysvida のでこぼこが結構業績に結局見かけ上、影響を及ぼして、それで業績が良く見えたり、悪く見えたりということがずっと繰り返されているんですが、その実態と差について、何か早く、対策および開示について、何かございますでしょうか。

藤井 [A]：われわれもこの季節性というのはなるべく標準化できないかという努力はしているんですが、やはりユーザー様からも、オーダーというのはやっぱり受けざるを得ないと

ころがございまして、どうしてもこういうオーダーパターンに応じた Q4 の在庫はどうしても積み上げてきてしまうというふうな状況になっています。

ただ、まさにご説明申し上げました通り、実需は堅調でございまして、Q4 の在庫はかなりもう減ってきておりますし、それを裏付けるように、スターティングフォームの数も順調に出ておりますので、今後の成長は予算通りのほうに進んでいるというふうには思っております。

山口 [Q]：ということは、Q1 は結構、去年に引き続き少なくなっちゃうんですけど、逆に言うと、Q4 でまた出るかもしれないし、通期で見れば、なべて、結果的に言うと、もう末端が好調なので、会社予想比では何とかなるでしょうという、そういう見立てですか。

藤井 [A]：そうですね、はい、Q4 の売上が急に上がるというのは、先ほど申し上げました通り、避けたいんですけれども、おそらくそういう季節性というのは、今年の末も残っていくんじゃないかなというふうには思っております。

山口 [M]：はい、わかりました。私からは以上です。ありがとうございました。

若尾 [Q]：はい、JP モルガンの若尾です。よろしく申し上げます。一つ目が、ファーストクォーターの利益水準というのは、御社の計画に対して、ちょっとでも上振れているのかどうかというところを確認させてください。

一応為替は円安方向で着地していると思うので、トップラインが現通ベースで概ね計画通りならば、ファーストクォーターのこの着地、見た目は減益ですけど、計画に対してやや上振れていてもおかしくないのかなというふうに思うんですが、この点について教えていただけませんか。

為替が割と動くので、セカンドクォーター以降、大きく円高に振れた時に、御社の通期計画達成可能なかというところを知りたいので、教えていただけませんか。

川口 [A]：会社内の予算というか、計画に対して、ファーストクォーターの状況はどうかというご質問だと思うのですが、イメージとしては、為替はこの Q1 に関しては、計画に対して追い風、円安で追い風でしたので、その分は上振れていると。為替除いたところだと、ほぼ計画通りというところの数字になっております。

若尾 [Q]：はい、わかりました。若干の貯金があるということですね。

川口 [A]：為替の分ですね。ただ、今 145 円でわれわれ計画していますので、この先というのはなかなか見通せないかなとは思っております。

若尾 [Q]：はい、わかりました。ありがとうございます。二つ目が、Rocatinlimab について教えていただきたいのですけれど。サノフィの amlitelimab が、喘息で、好酸球および好中球の値が高い患者さんにおいて有効性が見えて、フェーズ3におきましては、サノフィがそういった患者さんを対象に喘息の開発を進めていくと思うのですけれど。

御社のこの Rocatinlimab も今喘息開発をしていると思うのですが、有効性が高そうなサブグループというのは、amlitelimab と同じような患者層になりそうとお考えでしょうか。

山下 [A]：山下でございます。ご質問ありがとうございます。弊社で今喘息のところ、フェーズ2試験をやっておりますが、まだデータの解析ができる状況にはなっておりません。amlitelimab の結果については非常に興味を持って、今後どのようなアクションが取られていくのかといったところも見定めていきたいなと考えているところです。

やはりリガンドの抗体とわれわれの OX40 の抗体というのが、どのような差があるのかという、これまでまだ比較データというのが、はっきりしたものがまだ十分ではないと思ってますので、私どもも差が出てくるのか、やはり同様の結果なのかというのは、これからしっかりと見極めていきたいなと思っているところです。

若尾 [Q]：今御社がお持ちの臨床データと、amlitelimab に関する臨床データ、およびそれぞれのメカニズムから考えて、有効性については差はなさそうであるというのが今のお考えですか。

山下 [A]：その辺も少ししっかりデータを見ないとわからないのかなと思ってます。それはやはり投与間隔の問題とか、かなりチャレンジングなドーズ設定であったりするのかなとか、あるいはそれが十分な設定であるのかとか、そういったところもわかりませんし。

今のところ、自分たちのデータが今こんな感じだというところを、そちらもまだ24週までのデータみたいなところですので、まだ十分に評価できるような状況ではないと認識しています。

若尾 [Q]：よくわかりました。あとフォローアップで、Rocatinlimab に関連する ASCEND の結果に関してなんですけど、結局この何週目の患者さんのデータが出ているんですか。ASCEND って中間解析の結果を最新のデータで出すと理解していたので、いまいち何週目までの患者さんのデータが出てくるかがわからなかったのも、もし教えていただければお願いします。

山下 [A]：すみません、これもまだ公表しないという状況でございます。ただ、私ども、順調に試験は進んでいるなと思っていることと、やはり申請に十分なデータを取って、その解析をして、申請していくということを考えてますので、ちょっとその辺はこれからフィックスして、検討することになります。ちょっと現時点ではまだそのところは開示できません。

若尾 [Q]：とはいっても、ASCEND の出てくる最初のデータで、先ほどおっしゃっていた、長期的に、もうちょっと長い間投与したならば、効果が高まっていくかどうかとか、そういった部分が見えるかもしれないくらいの投与期間のデータはを見せていただけたらと考えていいんですか。

山下 [A]：そうですね、まず試験が終わって、データをリードアウトしていくという段階になってきたところで、やはりわれわれ、データから実際どういう薬剤の提案ができるかということを考えていくことになりますので、それをもって申請に向かっていくということになります。

ちょっとそのところで、どのようなデータが出てきて、どのようなレベルまでご開示できるのか、私どもとしては、やはり早く申請するといったところを優先したいというところもございますので、ちょっとその辺も、できるだけ皆さんに正しく理解いただけるように心がけていきたいと思っておりますが、鋭意努力するという状況でございます。

若尾 [M]：大変よくわかりました。ありがとうございます。以上です。

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。私も ASCEND のことでちょっと確認なんです。

今回セカンドハーフで出てくるのは中間解析、詳細は今言えないとおっしゃいましたが、これ中間解析で申請するというのは、かなりもしかしたらアグレッシブなシナリオ、楽観的なシナリオという可能性はあるのでしょうか。

つまりフル解析まで待つとなると、クリニカルトライアルを見ると 27 年 5 月となっているんですが、もしかしたらそこまで待たなきゃいけないリスク可能性って、ちょっと考えておいたほうがいいんでしょうか。そのあたりを教えてください。

山下 [A]：この申請をどういう形で出していくのかというのは、ASCEND でそのデータを見て、しっかりと決定していくことになろうかと思うんですけども。

既に行っている試験でも、十分にこれまでご紹介している Q4W の 24 週といったところで試験は成功しておりますので、ASCEND の試験を待たずしても、ある程度の承認というところは見えてきてるのかなと思います。

そこに ASCEND 試験で、やはりより長期のところの検証をどういうふうに加えていくのか、あるいは使い方の部分とか、その部分をどれだけ上乗せしていくかなという話かなと思ってますし、あとこれはどうなるかわからないですけども、審査中にまたデータを追加提出するというのも交渉の範囲にあるかもしれないと。

そういったことも含めて、われわれとしては、早く承認を得るということと、それから薬剤の価値をできるだけ高く評価していただくということ、この両立を目指して頑張っていきたいなと思っているところです。

村岡 [Q]：ありがとうございます。ちなみにクリニカルトライアルを見ると、primary completion は今年の6月25日となっているんですけど、もしかして今度のセカンドクォーターの時に間に合っちゃったりしますか、ヘッドラインだけでも。

山下 [A]：いや、リードアウトはセカンドハーフという形で、今予定しております。Completion とそこからまだ時間かかりますので、ご理解いただければと思います。

村岡 [Q]：わかりました。あと、2問なので、セカンドクォーターの考え方を教えてください。今回のファーストクォーターの数字が、Crysvita は反動で悪かった、Poteligeo は在庫調整で悪かった、持分法益は、たまたま売りが立たなかったから悪かった。これ全部セカンドクォーターにはポジティブに返ってきそうな気がするんですが。

費用消化は確かに均等化しているのかもしれないですけど、それなりにセカンドクォーターでポジティブでどんと戻ってきて、例えば6カ月累計すれば、予算のコア営業利益800億のほぼ半分近くまで戻せるような勢いを期待してもいいのか。

いやいや、さすがにそこまではというふうに考えるべきなのか。ちょっとセカンドクォーターの反動のプラスがどのくらい出るべきなのかということをお教えいただけますでしょうか。

川口 [A]：難しい質問ありがとうございます。反動という意味では、例えばCrysvitaに関しては、前年の出荷の反動減がファーストクォーターにあったということなので、ファーストクォーターの反動がセカンドクォーターにあると、そういう構造ではないので。

基本的にはセカンドクォーターに関して、われわれが計画している線を進めば、年間で、お約束している予想に到達するかなということ。先ほど申し上げた通り、ファーストクォーターに関しては、前年と比較すると、こんなに減益なんだという、驚くような数字になってしまってますが、計画比では順調に会社の計画が進みますので。そういう意味では、セカンドクォーターに関して、計画通り進めばいくかなと。

それで上半期全体が年間のどれぐらいかという話ですが、先ほど冒頭で売上の進捗率でも申し上げた通り、私ども、やはり後半にかけてトップラインのほうは伸びてくる傾向がございますので、必ずしも半分ということではないのかわからないです。そんな形のお答えでいかがでしょうか。

村岡 [Q]：わかりました。R&D 費も平準化しているということは、次の3カ月もそれなりに YoY ではなくて使うということなんでしょうから、6カ月累計でもやっぱりそれなりに YoY で比べると、まだまだ厳しいけど、年間800はどうにか行きますって、そういうことですね。

川口 [A]：そうですね、そこを目指して、期待に応えられるようにしっかりとコントロールしていきたいなと思っております。

村岡 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

橋口 [Q]：大和証券、橋口です。よろしく申し上げます。一つ目は季節性についてです。前四半期との比較においては、季節性というご説明はよく理解できるんですけども、前年同期の売上との比較では、去年よりも季節性による影響が大きくなっていると思います。

Crysvita は北米で現地通貨ベースで1%しか伸びていない、Poteligeo も5%である。この季節性が、前年と比べて一段と大きくなっている要因というのはどのように理解すればよろしいのでしょうか。

藤井 [A]：藤井です。これは例年スペシャリティファーマシーの在庫積み上げとか、あと年初に保険の切り替え手続きがあるということで、この二つが大きくこの季節性に影響していると思ってます。

ただ、去年それがなぜ少し高めに出たのかという原因の究明はまだ明確にはできてないところがございまして、大きなオーダーパターンという中でこういうことが起きたのかなということぐらいしか、今のところわかってないです。何が明確に、昨年の末に大きく出たかということの原因究明ができていないということです。

橋口 [Q]：はい、ありがとうございます。もう1点が研究開発費についてです。これまでと計上方法を変えた、インボイスベースから Activity Base にということでしたけれども、この影響額というのがどれぐらいだったのかというのはご開示いただけないでしょうか。

川口 [A]：はい、川口です。ありがとうございます。従来は、おっしゃられる通り、インボイスベースで計上してたんですが、今年から研究開発で、プロジェクト・ポートフォリオ・マネジメントシステムというのを導入して、これが稼働し始めたので、これを契機に、研究開発のプロジェクト経費ですね、主に、こちらについて Activity Based Costing で見積計上ができるようになったと、より研究活動の進捗に合わせて適切な経費の計上ができるようになったと、そういうことでございます。

そうすると、インボイスベースではなくて、例えば臨床試験の進捗等に応じて開発費が比例的に計上されるという仕組みになってますので、普通に考えますと、四半期ごとの活動内容がそこまで大きく変わらなければ、四半期の費用が平準化されると、そういう仕組みです。

これによる影響額を出すというのは非常に困難なんですけど、従来、例えば昨年ファーストクォーターですと、進捗率に対して、平均的に言うと25%の今年進捗率という部分があるActivity Based Costingによって出てきていると考えてます。

それが昨年は23%の進捗率ということなので、2%相当ぐらいがActivity Based Costingの影響と見てます。

それから27%ということで、さらに2%ぐらい進捗率が高いと、これはまたもう一つ別の要因として、rocatinlimabですね、4083のフェーズ3試験ですが、8本ある試験のうち、もう7本についてはピークがもう終わってきてますので、後半にかけて4083の研究開発費というのは少しずつ減っていくと、そういう想定になっておりますので、その組み合わせで27%という進捗率が出ているというようなご理解をいただければと思います。

橋口 [Q]：ありがとうございます。ちょっと最後のところなんですけれども、四半期ごとに少しずつ減っていく、そのトレンドをそのまま引っ張っていけば、年度単位でいうと、今年度から来年度にかけては研究開発費が減ると思ってもいいのかな。それともZiftomenibのアクティビティやRocatinlimabでも喘息の開発などもあるので、いや、そうではないというのか、どういうふうに考えればいいのでしょうか。ちょっと気の早い質問で恐縮です。

川口 [A]：アトピー性皮膚炎のrocatinlimabの研究開発費についてはそういう形で、年度の今年の後半から徐々に減ってきますので、2026年は、今年よりは少ないと、そういうことでございます。

Ziftomenibについては、研究開発費、グローバルな研究開発費は、4年間はKura社が負担することなので、こちらは研究開発費には影響を与えないというふうにご理解いただけると。

一方で、rocatinlimabの適応拡大の喘息、あるいはPNみたいなところの試験は少し増えてくるというところの組み合わせで、来年のところは考えていただければと思います。

橋口 [M]：はい、ありがとうございました。以上です。

植田 [Q]：ゴールドマン・サックス証券の植田でございます。私から1問目、販管費の進捗についてもう少し教えていただければと思います。25%というのが順調で計画線だというご説明ではあり

ましたけれども、過去数年で見ても、第1四半期は22から24%ぐらいの進捗というところで、為替の影響等もあるのかなとは思いますが、今期の進捗は高いようにも印象を持っております。

また Ziftomenib ですとか、Rocatinlimab の上市に向けた準備等が年の後半に向けてもし増えていくようだと、やはりここも超過してしまうのではないかなというふうな懸念を持っているのですが、こちらの四半期の大きな推移といいますか、先ほど研究開発費でいただいたようなところのイメージについてご教示いただけますでしょうか。

川口 [A]：お話いただいた通り、25%という数字が、昨年はおそらく24%だったと思いますので、われわれとしては、誤差というか、1%ぐらいの差というふうに思っていますが、おっしゃっていた通り、Ziftomenib の上市準備費用なんかは少し後半に増えるという傾向はあろうかと思えます。

ただ、ちょっとお話できないんですが、下半期のほうが少し減る経費も計画の中では織り込んでまして、そういう意味では、計画の中で進んでいるというところでご理解いただければと思います。いずれにしても、ファーストクォーターの販管費につきましては、ちょうど計画線通りの今発生の仕方をしているというところをご理解いただければと思います。

植田 [Q]：承知いたしました。ありがとうございます。2点目が、冒頭の質疑応答でありました関税のところなんですけれども、対応について今検討してらっしゃるというようなコメントがありましたが、今御社でご想定されてらっしゃる対応としては、在庫を多めに積み増していくというような話なのか、もしくは生産拠点ですとか、どのタイミングで輸出するとかってというような、こういった製造プロセスにかかる移管も含めたところまでお考えでいらっしゃるのか。このあたり、何かカラーございましたらご共有いただけますでしょうか。

川口 [A]：今おっしゃっていた在庫積み増しというのは短期的な対応策、それから製造拠点をどうするか、これは長期的な対応策ということだと思えます。社内では、もちろんあらゆる可能性を、シナリオを考えて、長期対策、短期対策、本当にそれを取るべきか、というようなことはもちろん全部議論しています。

ただし、このトランプ関税というのが、実際にいつ、どのような形で発動されて、これが本当に永続的に続く制度なのかということも含めて、非常に現段階で何か申し上げられることというのは何もないという状況でございまして、社内では本当にたくさんの議論を重ねておるという状況でございします。

植田 [M]：承知いたしました。私から以上でございます。ありがとうございます。

酒井 [Q]：すみません、UBS、酒井です。今のポイントなんですが、Crysvita の原産国というんですかね、生産地というんですか、FDA の Full Prescribing Information、日本で言うと添付文書ですけど、そこの最後のところに、manufactured by Ultragenyx Pharmaceutical、生産地が Novato、California、US、ライセンスナンバー2040 という記載があるんですけども、これはどういうふうに私たち理解すればよろしいのでしょうか。

これは、御社は、ライセンスで、ライセンスアウトして、Ultragenyx が現地で作っているということなのか。この辺の仕組みというのは、過去に Ultragenyx と提携した時に、何らかの形で生産に関する開示というのを含めて、御社、何かお話しされたことがありますか。この点ちょっと確認させてください。

川口 [A]：今いただいた情報というのは、私も初めて聞く内容ですので、ちょっと今、不正確なこと、お答えできませんので、また IR チームのほうから確認して、ご返事差し上げる形でよろしいでしょうか。

酒井 [Q]：じゃあ、Ultragenyx とは過去に生産うんぬんについての取り決めに関する開示は行ってないと。内容を聞いているじゃなくて、あったか、ないかということで言うと、開示はされていないということよろしいんですね。

川口 [A]：そうですね、開示、もちろんそういった類の開示というのはまったくしてないと思う。

酒井 [Q]：わかりました。じゃあのちほどというか。

川口 [A]：いずれにしても、原産国ですね、いわゆる関税上の country of origin と、今おっしゃっていただいたものは、ほぼ無関係ではないかなというふうに思います。

酒井 [Q]：無関係とおっしゃいました？

川口 [A]：あんまり関係のないようなもののような気がしますが、今ちょっと私も正確な情報がかめてませんので、いずれにしても、回答としては差し控えさせていただければと。

酒井 [Q]：わかりました。じゃあちょっと回答をお待ちするということにさせていただきます。それから山下さんにお聞きするんですが、19 ページのこの T 細胞数の時間経過ですけども。これ確かに T 細胞リバランスということで、この OX40 の一つの特徴だとおっしゃられていることは理解しているんですが。

この右の表ですね。いわゆる rocatinlimab を投与された患者、T Cell と CD4 と OX40、これが青いグラフのように下がってきてますということは、これは結果として出ると思うんですが。この意味、この臨床上の、これを臨床上の症状といいますか、に何かリンクして、今後データを作られて

いくのか。またはそれを何らかの形でラベルに反映することが可能なかどうか。ただ単に触りました、ではどうなんでしょうかというのがシンプルな質問なんですが、いかがでしょうか。

山下 [A]：今回 Rocatinlimab の作用機序を説明していく中で、病原性 T 細胞を減らすことができる、それを実際にデータとしてお示ししようということで、このデータを今回開示させていただいております。

実際には、臨床試験に伴って、いろんなバイオマーカーを調べておりますので、そういったものも含めて、総合的にどのような薬剤が、いわゆる病態の状態にある免疫状態から、どのような変化を与えているかというのは示していけるようになるんじゃないかなと思っています。

ただ、やはり有効性を承認していただくという、審査して、承認いただくという中では、やはり人での臨床効果といったところが非常に重要になりますので、こういったものはそれをサポートティブな情報として使っていただければと思っています。

また Rocatinlimab というものがどういうものかというのを専門家の方も含めて、ご理解いただく上で非常に重要なデータだと思っています。

酒井 [Q]：わかりました。じゃあ一応とりあえずはこれはデータとして、まだ臨床症状の改善うんぬんまでには辿り着いていないということですよ、今の現状。

山下 [A]：これは HORIZON 試験で、臨床試験のデータを、24 週というのをお示ししておりますけれども、その過程でこういった病原性 T 細胞と思われる細胞が経時的に減っていったということ。このデータも、先ほどの EASI 90 と同じように、減少がここが底になっているのか、まだまだ下がっていくのかということも、これまでのデータではまだわかってないということですので。これが臨床効果がどんどん高まっていくといったところと関連してそうかなというところは考え得るかなと思っています。非常に今お示ししているグラフとの裏返しみたいな形になっているのかなと思いますので、臨床効果とパラレルに起こっている現象というふうな捉え方はできそうだなと思っています。

酒井 [Q]：わかりました。あとちょっと少し申しわけないです。この結果は、血液検査で捕獲されたんですか。

山下 [A]：そうだと思います。おそらく末梢血だと思いますが、すみません。

酒井 [Q]：末梢血、バイオブシーではないですね。

山下 [A]：はい。

酒井 [M]：わかりました。ありがとうございます。引き続き注目しております。よろしくお願いいたします。

川口 [A]：ちょっと先ほどのご質問に関してわかった情報なのですが。アメリカのパッケージのインサートに記載されている manufacturer、製造業者ですかね、こちらは実際に製造を行っている工場の場合ではなくて、製造を担当している会社の名前が記載されると。ですから製品の製造に責任を持つ企業や組織の名称が表示されると、そういう制度のようでございます。

ですから先ほど申し上げた通り、関税における原産国という部分とはまた異なるかなというふうに、今情報が入っております。承認を取った時の会社の名前が記載されるというように理解いただければと思います。

和田 [Q]：SMBC 日興証券、和田です。今の酒井さんのご質問にちょっと関連したところでお伺いしたいんですけど。レスポnder、ノンレスポnderを見分けるための PD マーカーみたいなものというのは存在するのでしょうか。それがこの OX40、CD40 cell になるのでしょうか。

御社の Rocatinlimab は有効性が出て、EASI 75 とかが出てくるのが結構ゆっくりなので、臨床現場では効く患者さんと効かない患者さんというのを、ある程度早期に見極められると、使いやすくなるのかなと思ったんですけど。そのあたりの、もっとリサーチ段階のものでもいいんですけど、アイデアがあるかということをお伺いできますでしょうか。

山下 [A]：いろんな早期に動くマーカーというのはもしかしたらあるかもしれませんが、リサーチ段階で、非常に早い段階で動くマーカーというのは多分存在すると思うんですね。

ただそれが治療効果に直結してますかといったところでは、例えば治療というと、やはり医薬品がどれだけ持続的にそういう作用を発揮し続けるかとか、どの場所で、必要な場所に必要な濃度が届いているかとか、そういったことで治療効果が出るということになりますので、そういったところまで全部プレディクトできるマーカーがあるかということ、なかなか難しいかなとは思ってます。

ただ、おっしゃられたアイデアというのは非常にわれわれも検討すべき観点だろうなとは思っていて、やはりこういったマーカー、先ほど申し上げた組み合わせとか何とかで、やはりこの患者さんがベネフィットを受けられる患者さんと、そうでない患者さんがもしいるのであれば、それを引き続き見極めるということは考えていく必要はあるのかなとは思っております。ご質問ありがとうございます。

和田 [Q]：はい、ありがとうございます。もう1点は、実際の臨床現場での投与方法なんですけど。ASCEND 試験は、基本的には、その前に HORIZON とか、IGNITE とかの患者さんがリクルートされてという、こちらそうですね、という試験になっているんですけど、基本は。

なので24週までは4週1回投与というのが基本になっていて、それ以降、維持投与みたいなところで8週に1回、またはオフトリートメントみたいなところを検討していくというのが現状の臨床のデザインから言える投与方法になるのでしょうか。

山下 [A]：概ねそういう理解で結構かなと思います。既にやってるところから、このように入っているっていただくといったところですね。先ほども ASCEND の試験の中間解析の話とかもございましたけど、この試験が、先の試験が終わった患者さんからどんどん入っていただくので、よーいドンで始まる試験じゃないということなんですね。

それなので、かなり最初の親試験に早い段階で入られた方は早く24週を迎えて、早い段階からこちらの試験に参加しているという形で、最終的にはかなり長い間投与経験された方とか、あるいは親試験が一番最後の患者さんであったら、この試験の入っている期間も一番短いというような、何かそういう集団のデータになるということですね。

その中で、統計的にいろんなことを解析していこうといったところになりますので、この親試験から、こちらの新たにランダムイズして得られたデータというものを通しで見ていきながら、どういったところに有効性として有意差が出せるのか、検証として成り立つのかということを考えていくことになります。

和田 [Q]：今の質問のもう1個の意図としては、最初から8週に1回投与という群が設定されているかどうかという話なんですけど。amlitelimab とかだと、最初から12週に1回投与みたいのを設定されているんですけど、群として。そういった群ってありますでしょうか。プラセボから、例えば8週に1回、ASCEND に入っていくとかっていう患者さんもいるのでしょうか。

山下 [A]：ちょっと確認しないとわからないですが、HORIZON のプラセボだった方が、いきなり8週に1回に行くかという話ですよ。

和田 [A]：おっしゃる通りです、はい。

山下 [A]：確認がちょっと必要です。

和田 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。ありがとうございます。

村岡 [Q]：関税のところで、ちょっと先ほどからお話ができないというのが多すぎるんですが。私の知る限りの公表情報から、ここは事実ですよねということの確認も含めて教えていただきたいんですが。

御社の高崎工場、2019年商業生産開始して、まさに Crysvida のために作った工場だったと、旧キリンの、と思っているので、Crysvida は日本で作って、向こうに持っていったら、私はそう理解し続けていたんですが。

それプラス、今日の資料の 37 ページ目の Crysvida の経済条件のページですね、ここ、昔から書いてあるんですけど、この上から 4 行目、製品供給価格は US のアライアンスされていたところまでは売上の 35%、以降は 30%と書いてて、これ昔から書いてあるんですが。

つまり日本で作った Crysvida の API か、最終製品かを売上比 30%のトランスファープライスで向こうに持って行ってます。そういうふうにアメリカの子会社とやり取りしてますって、ほぼほぼ言っているんだと私は理解しているんですが、この理解はどのくらいの的を射ているのか、いないのか、教えてください。

川口 [A]：サプライチェーンに関しましては、先ほどから申し上げている通り、非開示ということをお願いしたいんですが。もう 1 点、Ultragenyx 社とのコラボレーションの経済条件に書いてある製品供給価格というところは、プロフィットシェアをする前提として、製品供給価格、売上原価を 35%とみなして、その残りの粗利を半分半分にしましょうということでございまして。

これは実際の製品の原価でもありませんし、私どもが米国子会社とのトランスファープライスに使っている製品供給価格ともまた異なるものでございます。あくまで Ultragenyx 社との経済条件を合意するにおいての前提条件という形でご理解いただければと思います。

村岡 [Q]：わかりました。ありがとうございます。ちなみに 30%より高いんでしょうか、低いんでしょうか。

川口 [A]：それは非開示ということでよろしく申し上げます。

村岡 [Q]：わかりました。ありがとうございます。あともう 1 個だけ、すみません、rocatinlimab の話なんですけれど。この間の 3 月の説明会を受けた時に、私、これだったら、デュピからの切り替え試験をやると、rocatinlimab って存在意義がすごい出るんじゃないかなって、私は思ったんですが。今のところ、多分切り替え試験みたいなものってやってらっしゃらないと思うんですが、これ考えてらっしゃいますでしょうか。

山下 [A]：今回そういうプロトコル上、切り替えというのを設定してやっている試験はございません。ただ、今回この試験に入っただけの方で、前治療歴があるという中で、全身性の治療を受けて、なおかつここに入ってくるという方の中には、かなりの方が全身性治療が十分ではないという患者さんが入っただけです。

その中でこの rocatinlimab が有効性を示しているといったところで、それも多くの患者さんに参加いただいてやっている試験なんですけども。そういった中からそこを分析していくと、前治療の背景がこういう方に対して、この薬剤がこういうふうに出したというふうな、そういったようなデータ、情報というのは得られてくると思いますので。

まずそういったところでもある程度いろんなことが訴求していけるかなと思ってますし、またそういうものも含めて、試験が必要かどうかというふうなことも考えていくという、そんなふうにご検討しております。

村岡 [Q]：ありがとうございます。つまり現時点では、考えていない、計画はない、切り替え試験に関しては、切り替えをメインにした試験は考えていないという、そういうことでよろしいんですか。

山下 [A]：そうですね、そういった開示はしていません。

村岡 [M]：わかりました。以上です。ありがとうございます。

司会 [M]：こちらをもちまして、2025年12月期第1四半期決算に関するオンライン説明会を終了いたします。本日はご参加いただきまして、誠にありがとうございました。今後とも協和キリンをよろしくお願い申し上げます。

[了]