



## 協和キリン株式会社

2024 年度第 2 四半期決算説明会

2024 年 8 月 2 日

## イベント概要

---

[イベント名] 2024 年度第 2 四半期決算説明会

[決算期] 2024 年度 第 2 四半期

[登壇者] 3 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)

## 登壇

---

**司会**：ただ今より、昨日午後 3 時 30 分に発表した、協和キリン株式会社 2024 年 12 月期第 2 四半期決算に関するオンライン説明会を開催いたします。

説明会の開催に先立ち、注意事項がございます。本日までご参加いただきまし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ください。

また、本説明会の内容は、オンデマンド音声配信、およびトランスクリプトとして弊社 Web サイトにて公開いたしますので、その点もあわせて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。

本日までご紹介する内容には、将来に対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、ご了承ください。

本日のスピーカーです。質疑応答は、代表取締役社長の宮本昌志、取締役専務執行役員の山下武美、常務執行役員 CFO の川口元彦の 3 名です。

本日の説明会は、最大で 90 分を予定しております。宮本からのプレゼンテーションの後、皆様からのご質問にお答えさせていただきます。

## Q2業績サマリー

修正予想想定レート（通期）  
 USD/円 140 → 151円/USD  
 英ポンド 180 → 191円/GBP  
 ユーロ 155 → 163円/EUR

**KYOWA KIRIN**

（単位は億円、単位未満四捨五入）

	2023年 Q2実績	2024年 Q2実績	増減	2024年 修正予想	進捗率
売上収益 [海外売上比率]	1,992 [63%]	2,330 [71%]	+338 (+17%)	4,730→ 4,920 [71%]	47%
売上総利益 [売上総利益率]	1,522 [76%]	1,735 [74%]	+213 (+14%)	3,480→ 3,640 [74%]	48%
販売費及び一般管理費 [販管費率]	824 [41%]	832 [36%]	+8 (+1%)	1,660→ 1,680 [34%]	50%
研究開発費 [研究開発費率]	337 [17%]	492 [21%]	+156 (+46%)	1,000→ 1,050 [21%]	47%
持分法投資損益	14	31	+17 (+124%)	30→ 10	311%
コア営業利益 [コア営業利益率]	375 [19%]	441 [19%]	+67 (+18%)	850→ 920 [19%]	48%
当期利益/中間利益	216	378	+161 (+75%)	630→ 680	56%

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

5

**宮本：**皆様、おはようございます。お忙しい中、ご参加いただきありがとうございます。早速、私からご説明差し上げたいと思います。

まず、前年同期比です。売上収益は 2,330 億円でプラス 338 億円、17%の増収、営業利益は 441 億円で、プラス 67 億円、18%の増益、中間利益としては 378 億円で、161 億円、75%の増益となっております。

売上収益は、主要な製品が順調に推移していることに加えて、為替の影響があり、17%の増収となりました。コア営業利益は、KHK4083 の開発進展や、Orchard 社の新規連結に伴い、研究開発費が大幅に増加しております。

しかし、増収によりこの研究開発費の増加を吸収し、売上総利益が増加したことで、18%の増益となっています。中間利益については、減損損失が減少したことで 75%の増益となっています。

通期予想です。直近の為替水準等を反映して、年初の業績予想から売上収益でプラス 190 億円、コア営業利益でプラス 70 億円、当期利益でプラス 50 億円、それぞれ上方修正しました。

修正予測の前提となる為替レートは、ページ上部のとおり、通期ベースで US ドル 151 円、ポンド 191 円、ユーロ 163 円としています。

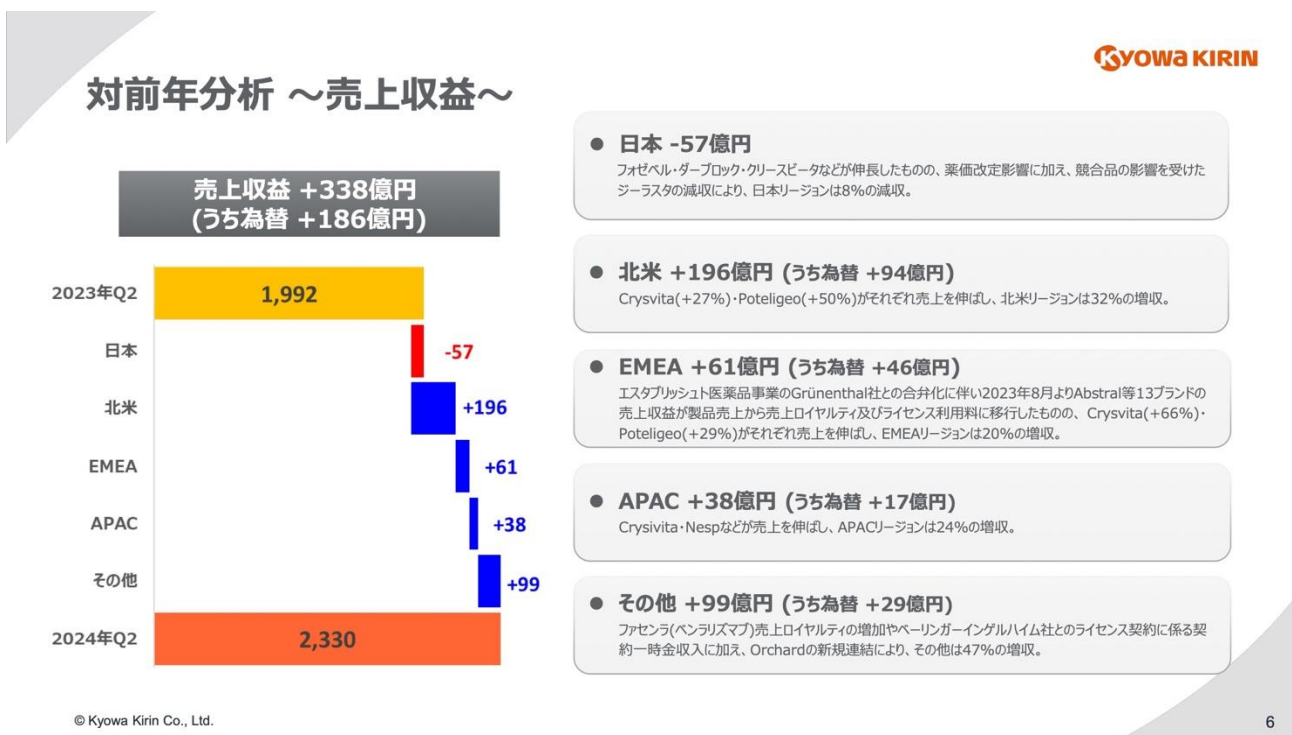
一部の販管費、および持分法損益を除いて、基本的には為替レートの変動影響を修正予測に反映したということで、売上収益は 4,920 億円で修正、また販管費および一般管理費と研究開発費につい

でもそれぞれ 1,680 億円、1,050 億円に修正したということです。これらは計画線と考えております。

なお、修正予測には、昨日公表の APAC 事業の再編に伴う販管費の減少影響を 30 億円程度織り込んでおります。

持分法投資損益については、修正予測で 20 億円下方修正しております。米国のアダリムマブ市場におけるバイオシミラーのシェアが想定よりも低くなっていることで、FKB 社の業績が年初計画を下回る見通しを織り込んでおります。

以上の結果、コア営業利益としては 48%の進捗となります。中間利益では、ファーストクォーターでの固定資産売却の計上等により、少し高い進捗率となっています。今年から、ご存じのとおり、四半期報告書が廃止された影響で、第 2 四半期利益を中間利益と表記しております。



こちらは、リージョン別の売上収益の対前年分析です。

日本は、フォゼベル、ダーブロック、クリースピータが着実に成長を続けており、特に、新製品のフォゼベルについては2月の発売以来、順調に推移しております。一方で、バイオシミラー参入と薬価改定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8%の減収となっております。

北米は、Crysvita と Poteligeo の堅調な成長に加えて、円安の影響もあり、32%の増収となっております。

EMEA は、エスタブリッシュト医薬品事業の Grünenthal 社との合弁化に伴い、昨年 8 月より Abstral など 13 ブランドの売上収益が、製品売上から売上ロイヤルティおよびライセンス利用料に移行した減収影響がありました。グローバル戦略品である Crysvida と Poteligeo の成長と為替影響により、20%の増収となっております。

APAC は、Crysvida や台湾の Nesp などが伸長して、24%の増収となりました。

その他は、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のベーリンガーインゲルハイム社からの契約一時金収入に加えて、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、47%の増収となりました。

## 日本の主要アイテム売上収益

KYOWA KIRIN

(単位は億円、単位未満四捨五入)

製品名など	2023年 Q2実績	2024年 Q2実績	前年比	増減要因	2024年 修正予想*	進捗率
クリースピータ	48	54	+5 (+11%)	市場浸透(2019.12発売)	129	42%
ポテリジオ	9	10	+0 (+4%)		19	50%
ネスプ+ネスプAG <sup>1</sup>	84	69	-14 (-17%)		144	48%
ネスプ	15	14	-2 (-10%)	薬価改定・競合品影響	28	49%
ネスプAG	69	56	-13 (-19%)		117	48%
ダーブロック	42	57	+14 (+34%)	市場浸透(2020.8発売)	122	46%
フォゼベル	-	17	+17 (- %)	2024.2発売	33	51%
オルケディア	50	49	-1 (-1%)		117	42%
ジーラスタ	150	105	-45(-30%)	薬価改定・競合品影響	205	51%
リツキシマブBS	44	38	-6 (-15%)	薬価改定	79	48%
ロミプレート	57	65	+7 (+13%)	市場浸透(2019.6適応拡大)	132	49%
ノウリアスト	37	34	-3 (-9%)		71	47%
ハルロピ	21	22	+1 (+4%)		52	42%

1 正式名はダルベヘ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。

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

7

日本の製品別の状況です。修正予想の記載がありますが、日本は為替変動の影響がありませんので、当初計画からの変更はございません。

クリースピータは、前年比 11%増と着実に成長しております。ネスプ AG は、薬価改定と競合品の影響を受け、売上が減少しておりますが、計画に対しては順調に推移しております。

ダーブロックは、前年比 34%増と順調に伸長し、同クラス内のシェアもナンバーワンを維持しております。フォゼベルは、2月20日に販売を開始し、順調に市場浸透しております。

ジーラスタは、昨年 11 月に発売されたバイオ後続品の影響と、4月の薬価改定、これは新薬創出加算の返還も含んでおりますが、この影響を受けて、前年比マイナス 45 億円、30%の減収となっております。

## 海外の主要アイテム売上収益

(単位は億円、単位未満四捨五入)

製品名など	2023年 Q2実績	2024年 Q2実績	前年比	増減要因	2024年 修正予想	進捗率		
Crysvita	619	855	+236 (+38%)	【北米】 市場浸透 [EMEA] 上市国・適応拡大(成人/TIO) [APAC] 市場浸透	1,759→	1,878	46%	
北米	460	587	+127 (+27%)					
EMEA	153	254	+101 (+66%)					
APAC	6	13	+8 (+141%)					
Poteligeo	125	181	+56 (+45%)	【北米】 市場浸透 [EMEA] 上市国拡大・市場浸透	325→	348	52%	
北米	94	141	+47 (+50%)			233→	251	56%
EMEA	31	39	+9 (+29%)			88→	93	42%
APAC	-	1	+1 (- %)			5→	5	18%
Libmeldy / Lenmeldy	-	14	+14 (- %)	Orchard新規連結 (2024.3 米国FDA承認)	45→	49	29%	
Nourianz	35	35	+0 (+0%)		85→	91	39%	
Nesp	44	57	+12 (+28%)		107→	107	53%	
Gran	32	37	+5 (+14%)		72→	72	51%	
技術収入	178	233	+55 (+31%)	ベリンガーインゲルハイム導出一時金、 ファセンラ伸長	450→	478	49%	
ベンタズマブ ロイヤルティ <sup>1</sup>	116	144	+28 (+24%)					

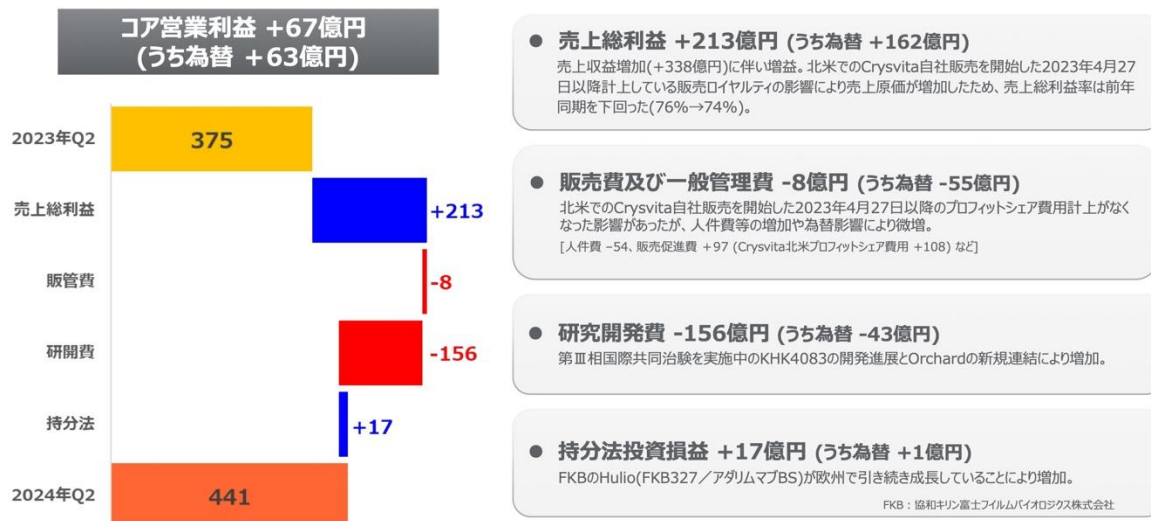
1 AstraZenecaが販売するファセンラの売上ロイヤルティ(当社独自の見積もりを含む)

海外の主要製品の状況です。Crysvita は、前年比 236 億円、38%の増収で、各地域で着実に成長を続けています。Poteligeo も、前年比で 45%増収と、特に北米は好調に推移しており、EMEA についても各国市場への浸透が進み、増収となったということです。

Orchard 社の Libmeldy/Lenmeldy は、1月24日からの Orchard 社の新規連結に伴い、欧州での Libmeldy の売上収益を 14 億円計上しています。ご存じのとおり、3月に Lenmeldy として米国での承認も取得しておりますが、セカンドクォーター時点ではまだ米国での売上収益は計上していないことになります。

技術収入は、ファセンラのロイヤルティの増加に加え、1月のベリンガーインゲルハイム社に導出した新規化合物のライセンス契約一時金の収益計上があって、前年比プラス 55 億円、31%の増収となっています。

## 対前年分析 ～コア営業利益～



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

9

売上総利益は、売上収益の増加に伴い 213 億円のプラス、14%の増益です。昨年 4 月の北米での Crysvita 自販開始以降の販売ロイヤリティ計上により売上原価が増加したことで、売上総利益率は 2%低下し、74%となりました。

販管費及び一般管理費は、北米での Crysvita 自販以降のプロフィットシェア費用の計上がなくなった影響がありましたが、一方で人件費等の増加や為替影響により、販管費合計としては 8 億円、1%微増という結果になっております。

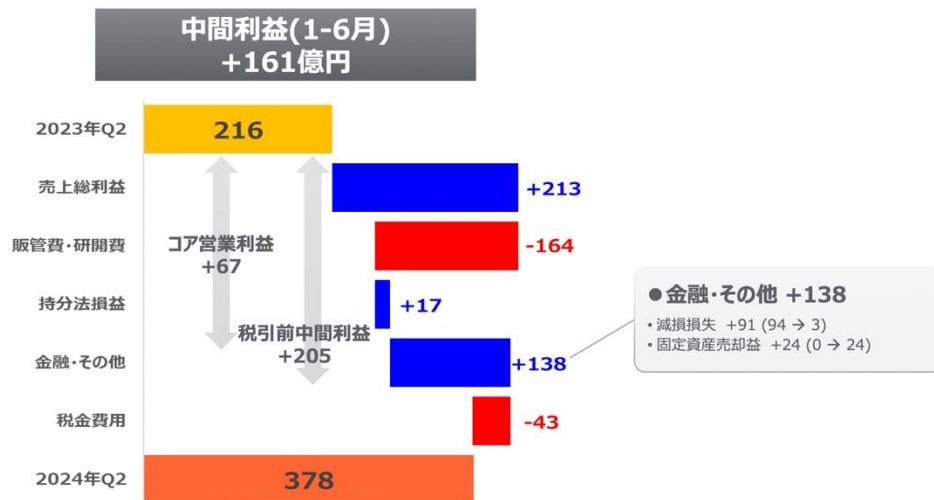
研究開発費は、KHK4083、rocatinlimab の開発進展、それから Orchard 社の新規連結があり、前年同期比でプラス 156 億円、46%の大幅な増加となっております。売上収益に対する比率も、前年の 17%から 4%増加して 21%となっております。

持分法投資利益は、17 億円増加しております。FKB の Hulio が欧州では引き続き伸長した結果によります。

これらの結果、コア営業利益は前年同期と比較して 67 億円の増益となっております。



## 対前年分析 ～中間利益～



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

10

コア営業利益以下の部分です。金融・その他が、138億円増加しました。主には、減損損失の減少と固定資産売却益による増加となっております。

ご存じのとおり、昨年はこの時期にRTA402等の減損が発生しておりました。この結果、中間利益は前年同期と比較して161億円、75%の大幅な増益となっております。



## 2024年キーアクション・Q2トピックス

### 2024年キーアクション

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

### Q2トピックス

- エビデンスに基づくマーケティング活動の強化。
- 北米：季節要因が解消し、着実な成長を継続。
- EMEA：成人保険償還による市場拡大及び患者浸透による成長に加え、Q3販売予定の一部を前倒し出荷。前年は、価格調整に伴う減収要因もあり、前同比大幅増収。NICE（英国国立医療技術評価機構）が、成人XLH患者さんに対する治療薬として本剤を推奨。
- 日本：専任担当者を中心とするプロモーション活動を継続。

### 売上収益



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

### XLH上市国・地域数



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

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

12

コマーシャルアップデートに入ります。まず、Crysvita です。ページ下段のグラフは、販売開始以降の売上収益、および販売国、地域数の推移を示しております。

第2四半期の売上収益は、グローバル全体で909億円、前年同期比ではプラス241億円の増収、36%の成長となっています。

エビデンスに基づく疾患啓発活動を通じて、成人XLHやTIOを中心に患者さんへの浸透が進んだこと、販売国、地域の拡大に伴い、着実な事業成長を継続しております。

売上収益の前年同期比では、第1四半期に北米の減収要因となった季節要因が解消し、本来の成長線に回復したことや、欧州でサードクォーターに出荷予定の一部が前倒しとなったこと、それから昨年第2四半期には、ご存じのとおり、ドイツでの価格調整に伴う減収要因があったことなどにより、昨年比として大幅な増収要因となったこととなります。

日本も、計画に対してはややビハインドですが、前年同期比11%と成長を続けています。

また、EMEA主要国の中では、英国での成人XLHの上市が遅れておりましたが、NICEからイングランド、ウェールズ、北アイルランドにおける成人XLH患者に対する治療薬としての推奨を6月に得ることができました。

引き続き、疾患啓発活動を継続するとともに、診断を受けた患者さんがより早期に治療を開始できるようにするなど、さらには保険等の切替えなどで治療にご不便をかけないように、患者支援プログラムの強化にもフォーカスして取り組んでまいります。



### 2024年キーアクション・Q2トピックス

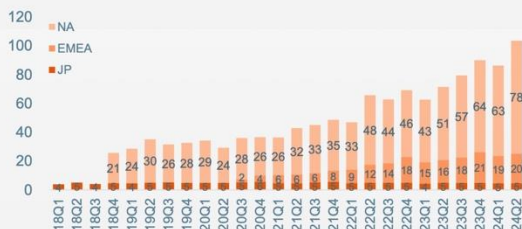
#### 2024年キーアクション

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

#### Q2トピックス

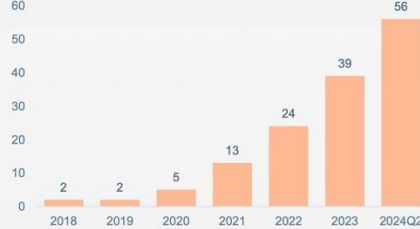
- 米国：売上収益は、前同比50%の増収。  
エビデンスに基づき、血液病変が主となる症例だけでなく、皮膚病変が主となる早期症例にも焦点をあてるプロモーション活動への拡大。  
データ分析の結果に基づき、本剤の投与可能性がより高い医療施設を中心にプロモーション活動を展開。
- 欧州：売上収益は、マーケットエリアの拡大や患者浸透に伴い前同比29%の増収。

売上収益(億円)



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

上市国・地域数



Poteligeo は、売上収益がグローバル全体で 190 億円、前年同期比較ではプラス 56 億円の増収、42%の成長となっております。

北米では、エビデンスを活用したプロモーションをさらに深化させており、血液に腫瘍細胞が認められる患者さんへの浸透を継続するとともに、皮膚症状を呈する患者さんに対するエビデンスも活用することで、これまで若干リーチが不足していた患者さんへのアクセスを進めております。

また、データの分析に基づいて、より投与可能性の高い医療施設を中心にプロモーション活動を展開しています。これらの取り組みを通じた事業成長が、この増収につながっていることとなります。

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を通じて成長していて、引き続きマーケティング活動の深化による既存マーケットのさらなる浸透と、ターゲットの拡大にフォーカスして成長を目指してまいります。

以上が、コマーシャルのアップデートになります。

## 主要開発パイプラインのニュースフロー

KYOWA KIRIN

2024年8月1日現在

開発コード 一般名	イベント (実施済みは太字表記)	予定時期 (オレンジ：済)
KHK4083/AMG 451 rocatinlimab	アトピー性皮膚炎 P3 (ROCKETプログラム)	進行中
	喘息 P2 開始	2024年5月
	結節性痒疹 P3 開始	2024年7月
KHK4951 tivozanib	滲出型加齢黄斑変性 P2	進行中
	糖尿病黄斑浮腫 P2	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 開始	2024年Q3
KK8123	XLH P1 開始	2024年Q3
OTL-203	△コ多糖症I型 (Hurler症候群) ビOTAL試験 <sup>1</sup>	進行中
OTL-201	△コ多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型) PoC試験 <sup>2</sup>	進行中

1. P3試験相当; 2. P1/2試験相当

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

15

次に、R&D のアップデートをご紹介します。スライドに記載のニュースのうち、前回からの変更点を中心に触れていきたいと思っております。

まず、rocatinlimab は、アトピー性皮膚炎を対象としたフェーズ 3 試験、ROCKET プログラムが進行中です。この後のスライドで、若干プロダクトの特性、それから ROCKET プログラムの進捗についてご説明したいと思います。

5月には喘息を対象としたフェーズ2試験でファーストパシエントインを達成し、試験開始となっております。また、7月には結節性痒疹のフェーズ3試験を開始しており、アトピー性皮膚炎以外の疾患についても臨床試験が順調に進捗しています。

KK2845とKK8123は、現在フェーズ1試験の準備中で、第3四半期にフェーズ1を開始できる予定で進んでおります。

以上、R&Dのアップデートとなります。

**AMGEN** **KYOWA KIRIN**

## Rocatinlimab is a Potential T-cell Rebalancing Therapy

- **T-cell imbalance is a root cause of inflammatory disease**
- **Rocatinlimab is the potential first and only T-cell rebalancing therapy that inhibits and reduces pathogenic T cells by targeting OX40 receptor**
- **Rocatinlimab is a T-cell rebalancing therapy designed to relieve inflammatory diseases across heterogeneous patient types**

© Kyowa Kirin Co., Ltd. 16

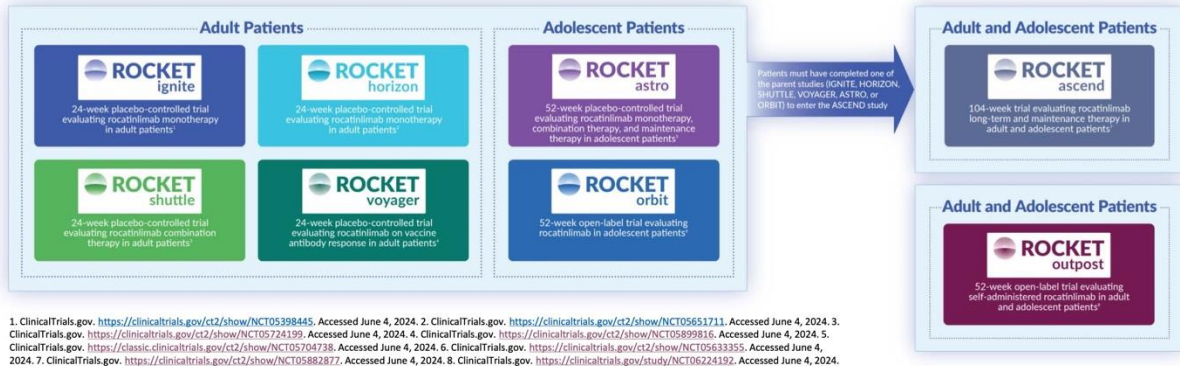
rocatinlimabについて、こちらのスライドでプロダクトの特徴を再確認したいと思います。アトピー性皮膚炎などの炎症性疾患においては、過度に活性化されたT細胞をここでは病原性T細胞と呼びますが、この活動が高いT細胞の数が増えた状態、つまりT細胞がインバランスな状態にあることが知られております。

一方、このrocatinlimabは、病原性T細胞上に発現するOX40受容体を標的としており、これらの細胞の機能を抑制し、数を減少させることができるプロダクトと考えております。

したがって、rocatinlimabは、T細胞がインバランスな状態を是正する、T細胞リバランスの達成が期待できる最初のプロダクトだと考えています。このT細胞リバランス作用により、さまざまな炎症を有する患者さんに効果を発揮することが期待されております。

## Rocatinlimab - ROCKETプログラム進捗

- 8つの試験からなる第3相試験プログラム
- これまでに3100名以上の患者さんが試験に参加、そのうち5つの試験で被験者登録を終了



### 現在ROCKET-horizon試験のトップラインデータ開示に向けて準備中 データ開示は2024年Q3中を予定

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

17

ROCKET プログラムの進捗についてご説明します。こちらに、全体像をあらためて示しております。

ROCKET プログラムは、合計 8 本の臨床試験から成る第 3 相臨床試験プログラムです。これまでに、3,100 名以上の患者さんが本試験に参加されており、5 本の試験では既に被験者登録の終了まで進んでまいりました。

この中で最も先行している ROCKET-horizon 試験については、現在トップラインデータの開示の準備が順調に進んでおり、アムジェンと協力しながら準備しているところです。第 3 四半期中には、なんらかのかたちで結果を皆様にご報告できるものと見込んでおります。



## 2024年初来の主なニュース

分類 公表日

ニュース概要

2024年8月1日現在

LCM	5/17	持続型G-CSF製剤ジュースタの自家末消血管細胞移植のための造血幹細胞の末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）

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

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

20

続いて、年初来のニュースをご紹介します。第1四半期決算発表以降のニュースリリースを一覧化したものです。

当社は、2030年ビジョンの実現に向けた戦略ストーリーに基づいて取り組みを進めておりますが、その中でもご紹介したいトピックスがいくつかございます。次のページ以降でご説明します。

## MLDの新生児スクリーニング（NBS）拡大に向けた取り組み

[https://www.kyowakirin.co.jp/pressroom/news\\_releases/2024/pdf/20240701\\_01.pdf](https://www.kyowakirin.co.jp/pressroom/news_releases/2024/pdf/20240701_01.pdf)



### 多分野からなる専門家ワーキングチームが 米国RUSP<sup>1</sup>へのMLD追加を推奨

- 6/27にACHDNC<sup>2</sup>に提出
  - 同委員会にてMLDのNBS実施に関する以下のベネフィット分析がスタート
    - ・ MLDの新生児を検出するスクリーニングテストの有効性と精度
    - ・ MLDと診断された新生児の治療ガイドライン
    - ・ 発症前診断の治療介入の臨床的な有用性
  - RUSPに採用され次第、州のNBSパネルにMLDを追加する法案を、現時点で12州が制定済み
- MLDの米国全土におけるNBS実施に向けて前進

### MLDのNBS実施に向けた施策が グローバル規模で着実に進捗

### ノルウェーが国レベルのNBSにMLDを採用

- ノルウェーの保健・ケアサービス省が6月25日、国のNBSパネルにMLDを追加
- 国レベルでのNBSへのMLD追加は世界初

### NBSに関する複数の論文発表を2024年上期に実施

- MLDの管理・モニタリングに関するガイドライン（米国）
  - NBSで見出されたMLD症例の臨床管理に関する、欧州臨床コンセンサスの確立とその推奨
  - NBS予備試験結果の詳細、および最適な診断アルゴリズムの提案（英国）
  - MLDを検出する高特異性スクリーニングの詳細
  - MLDのNBSの費用対効果を示す医療経済分析（英国）
- MLDのユニバーサルNBSに向けたエビデンス創出が進む

1. The U.S. Recommended Uniform Screening Panel; 2. Advisory Committee on Heritable Disorders in Newborns and Children

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

21

まずは、Libmeldy/Lenmeldy の対象疾患であります、異染性白質ジストロフィー、MLD の新生児スクリーニング拡大に向けた取り組みの進捗についてご説明します。

これまでもお伝えしてきたとおり、MLD は幼少期に発症する不可逆性の遺伝子疾患で、発症前後の早期に診断を確定することが、この疾患に対する治療プロセスの中でもきわめて重要なプロセスです。

現在は、各国、各地域に複数ある特定の医療施設が中心となり、早期診断に欠かせない新生児スクリーニングが実施されております。この新生児スクリーニングが公的に広く展開されるように、取り組みを進めております。

そういった中で米国、欧州それぞれで進展がありました。米国では、多分野から成る専門家ワーキングチームにより、全ての新生児に対してスクリーニングを行うことを推奨する対象の疾患リスト、Recommended Uniform Screening Panel、RUSP に、MLD を追加するよう推薦書が提出されております。

欧州では、ノルウェーが世界で初めて、ネーションワイド、国レベルの新生児スクリーニングパネルに MLD を追加することを決定しております。

右下に、上期の論文発表の実績を記載しております。引き続き、Orchard 社を中心に各論文発表等を展開し、新生児スクリーニングの重要性に訴求することで、MLD の新生児スクリーニングがユニバーサルに実施される環境を目指してまいります。

**Kyowa KIRIN**

## 米国ノースカロライナ州にバイオ医薬品工場の建設を決定

- ✓ 最大\$530Mを投資 バイオリアクター 2 基を備えたバイオ医薬品原薬製造工場を建設
- ✓ 2024年下期着工、2027年の稼働を目指す
- ✓ 臨床試験用治験薬を皮切りに次世代抗体等の革新的バイオ医薬品を生産予定
- ✓ 高崎工場との人材や技術の交流を通じてバイオ医薬品生産のケイパビリティ向上を目指す

バイオ医薬品生産のケイパビリティ向上を目指す



建設を決定した、バイオ医薬品工場についてご説明します。最大 530 ミリオン US ドルを投資することで、ノースカロライナ州に新たなバイオ医薬品工場建設を決定しております。

ご存じのとおり、米国はバイオ医薬品生産の最先端地域でもあり、特にノースカロライナ州はバイオ医薬品生産が盛んな州の一つです。リサーチ・トライアングル・パークが有名ですが、製薬会社や研究機関が多く、バイオ医薬品関連の優秀な人材獲得や育成に適した環境です。

新工場は、2027 年の稼働を予定しています。稼働後は臨床治験薬を製造する予定ですが、その後、上市品や次世代抗体等の核心的なバイオ医薬品を生産する予定にしております。

研究所を擁する基幹工場である高崎とノースカロライナで、拡張性のある設備を有することとなり、開発から上市までの技術移管が容易になりましたので、医薬品開発をさらに加速できると考えております。

来年、高崎工場においては、バイオ医薬品原薬製造棟、HB7 が完成する予定です。高崎とノースカロライナの両工場によるグローバル体制の下で、技術、人材のグローバルな循環を活性化し、バイオ医薬品生産のケイパビリティ向上を目指しております。



## APAC事業の再編

- ✓ Story for Vision 2030に基づきAPAC事業を再編する
- ✓ 中国事業については、当社現地法人の全持分をWinHealth社に譲渡する
- ✓ エスタブリッシュト医薬品事業についてDKSH社にライセンスを付与する（中国除く）
- ✓ グローバル製品（Crysvita、Poteligeo）についても、一部地域においてはパートナーにライセンスを付与して販売する

	エスタブリッシュト医薬品	グローバル製品
中国	Divest to WinHealth	Partner with WinHealth
韓国 / 台湾	Partner with DKSH	Kyowa Kirin
オーストラリア	N/A	Kyowa Kirin
その他アジア *	Partner with DKSH	Partner with DKSH

\* 香港 / マカオ / タイ / マレーシア / シンガポール

昨日公表した、APAC 事業の再編についてご説明します。この春、2030 年ビジョンの実現に向けた道筋として、Story for Vision 2030 を発表しております。これに基づき、APAC 市場の特性に応じて事業を再編することを決定しております。



既にご存じのとおり、欧州では Crysvida と Poteligeo に経営資源をフォーカスする体制に移管を進めております。APAC でも同様に、グローバル製品にフォーカスする体制に移行したいと考えています。

APAC のエスタブリッシュト医薬品事業は、中国、それ以外に分けております。中国は、当社の出資持分を WinHealth Pharma 社に譲渡します。中国以外は DKSH 社とライセンス契約を締結します。

Crysvida と Poteligeo のグローバル製品についても、地域の特性に応じて最適な販売体制を検討しておりました。韓国、台湾、オーストラリアでは、引き続き自社で価値の最大化を目指します。それ以外の地域では、パートナーングを通じて価値最大化を目指すことが最適と判断しました。

エスタブリッシュト医薬品と同様に、中国は WinHealth Pharma 社、それ以外は DKSH 社とパートナーングすることにしました。

**KYOWA KIRIN**

### 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	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

© Kyowa Kirin Co., Ltd. 24

10月以降の、APAC事業の再編後の損益構造を示しております。APACにおけるエスタブリッシュト医薬品事業、および韓国、台湾、オーストラリアを除くグローバル製品事業は、パートナーングビジネスに移行することになります。

パートナーングビジネスにおいては、販売価格が顧客への直接販売価格ではなく、パートナーへの製品供給価格に変わることにより、売上収益、売上利益ともに減少します。一方で、販管費も減少

しますので、コア OP はこれまでと大きく変わらないと予想しております。来期以降も構造的には同じになります。

コア OP 以下、その他の収益・費用は、当期に関しては中国子会社の売却益が発生しますが、一方で事業構造改革費用も発生します。この後のスライドでご説明します、日本における特別希望退職制度導入に伴うその他の費用などとあわせて考えますと、ネットとしては 2024 年度損益に与える影響は大きくないと考えています。

## 2030年ビジョンの実現に向けた研究体制への移行

✓ **Story for Vision 2030に沿った研究機能への移行を実施して、更なる創薬力の強化を目指す**

- 1) **重点領域シフト（骨・ミネラル、血液がん・難治性血液疾患、希少疾患）**
- 2) **革新的モダリティの強化（先進的抗体技術、造血幹細胞遺伝子治療など）**
- 3) **研究組織のグローバル化、研究組織の再編**

✓ **移行に際して、自社におけるフォーカスする領域を明確にする中で、低分子創薬については今後、縮小することを決定**

**再編に伴い、研究本部と生産本部CMC研究センター、一部の品質本部グローバルCMC品質ユニットを対象とする希望退職制度を期間限定で導入する**

最後に、2030年ビジョンの実現に向けた研究体制の移行と、それに伴う日本での希望退職制度の導入についてご説明します。

APAC 事業再編でもご説明したとおり、各地域や企業の特性に応じて、Story for Vision 2030 に基づく取り組みを進めています。

骨・ミネラル、血液がん、難治性血液疾患、そして希少疾患を重点領域として定め、モダリティとしては、これまで培ってきた先進的抗体技術に加えて、造血幹細胞遺伝子治療に注力することとしています。

これら重点領域、および新しいモダリティへの取り組みを強固なものにして、さらなる創薬力の強化を図るため、研究組織のグローバル化を進め、2030年のビジョン実現に向けた研究体制へ移行します。そのために、リソース配分を見直して、自社における低分子創薬研究の縮小を決定したことになります。

あわせて、この転換期に社員のキャリア開発の選択肢を広げ、社外への転身を希望する社員に対しては、転身に向けた最大限の支援を行うことで、希望退職者の募集を行うことを決定しております。

本日も説明したとおり、当社は Story for Vision 2030 に基づき、着実に取り組みを進めております。こうした取り組みを通じて、2030年ビジョンの実現を目指すとともに、年度計画に対してもしっかり計画達成を目指してまいります。

本日のご説明は、以上となります。

## 質疑応答

---

**山口 [Q]**：ありがとうございます。シティグループ証券の山口です。2点、お願いします。

最後に、アジアと日本のいろいろな事業の再構築に関するご説明をいただきました。アジアのところは売上がいろいろ分かりやすく書いてありました。

日本においては、これから始まることになろうかと思えます。ネットで中立とおっしゃいましたが、国内についての業績へのインパクト、特に販管費等についてはどのくらいをご想定されているのか。それはいつから出てくるのかを教えてくださいませんか。

**川口 [A]**：国内の影響は、今年出てくるのが退職日は12月31日となりますので、加算退職金の部分、それから再就職支援の費用が、コア OP の下のその他の費用に発生してくるということです。

こちらは、今募集人数を特に定めていないので、大きな幅でこれくらいになるだろうという金額的な幅を想定しており、それが今回の業績予想の修正にインパクトを、トータルではネットで与えないであろうという想定が、先ほどの宮本からの説明の内容です。

それから、来年以降は当然、ここで応募された方の人件費が年初から減る影響になりますが、この金額については、まだ募集人数が確定しておりませんので、今回はその影響額が分かり次第、またお伝えできればと思います。

**山口 [Q]**：そういう意味でいうと、グローバルのオペレーションで見たときに、エスタブリッシュトはまずヨーロッパやられて、今回アジアもやられましたし、R&D も一部方針変更ということで見直されました。そういったタイプの見直しは、グローバル、事業別含めてほぼ一巡したとお考えですか。それとも、まだアイテムとしては残っておりますか。

**宮本 [A]**：エスタブリッシュトというキーワードでいくと、日本はまだいろいろ残っていますねと皆様思われると思います。この辺は承継、終売等も含めて、いろんなオプションで今動きはしておりますので、一巡したかといわれると、継続してやっております。その辺は何か終わったとか、これから新しく始まるということでもなく、継続していろいろなことを考えながら、構造改革には常に取り組んでいる感じだと思います。

**山口 [Q]**：もう1点、rocatinlimab の開示の仕方についての簡単なお質問です。トップラインは出るということだと思いますし、それでアムジェンさんということにもなろうかと思いますが、こ

これは学会発表等も含めての話になりますか。それとも、トップラインを出して、学会はまたそのしばらく後からになるのでしょうか。その辺の出し方について、ご解説いただければと思います。

**山下 [A]**：まず今の ROCKET-horizon が近々、データが出てくるかなと思っておりまして、そのデータについてはトップラインデータレベルで早めに開示したいなと思います。学会等については、また適切な時期を見計らって進めたいと考えております。

**山口 [Q]**：ということは、トップラインだから、それで説明会をやるわけにもなかなかいかない、それは学会等に出た後になりそうですか。

**山下 [A]**：そうですね。その辺はアムジェンとも、どのようなかたちでこういうデータ開示のタイミングを活用していくかは、先方とも検討しながら進めていきたいと思っております。

**山口 [M]**：ありがとうございました。以上です。

**村岡 [Q]**：rocatinlimab のお話で、今の山口さんに追加での質問です。horizon のお話は大体理解したつもりなのですが、多分 R&D Day も年末 11 月、12 月におやりになると思うので、そこでその前に学会があって、R&D Day なのかなと思っているのですが、という質問と。

あわせて、申請への道のりは、その後の確か ROCKET-ascend の中間解析が 25 年のどこかで、いつ頃なのかも確認させていただきたくて、その上で ascend の中間解析が良ければ、まとめて全部のデータをひっくるめて申請という流れでよろしいのですよねというのを再確認させてください。

**山下 [A]**：ascend が長期にわたる試験になっておりますが、そのほかのフェーズ 3 試験のデータが、試験が大体 2025 年中に終わって、そのデータがまとまってくると、そのタイミングで ascend のデータも活用しながら申請に向かいたい、そういった大筋で考えております。

目標として、2025 年年末ぐらいまでにそういうアクションをとっていけるように進めたいなど、時間的な部分は今、その辺の目安で進めております。

**村岡 [Q]**：ascend は長い試験ですが、多分中間解析をすれば、今おっしゃった 25 年末の時間軸で、時間的には帳尻が合うよねという理解でいいのですよね。

**山下 [A]**：そうですね。一応、そういう想定で検討を進めています。

**村岡 [Q]**：毎回、Crysvita で同じような質問をしてしまうのですが、良かったときには次のクォーター大丈夫ですか、悪かったときには次のクォーターちゃんときますよねという質問です。

今回、アメリカが非常に良かったのですが、逆に次のサードクォーターで反動が出るリスクはないと思っていいでしょうか。在庫の状況や値上げ等も含めて、どういうことが起きて、サードクォーターにはどういう動きが考えられるのかを教えてください。

ヨーロッパは、資料の中にちょっと先食いがありましたとあったので、もしそこでも何か追加の色があれば教えていただきたいです。サードクォーターに向けた Crysvida の考え方を教えてください。

**宮本 [A]**：インベントリーに何かすごく大きな影響を与えるようなことがあるかというご質問かなと思いついて聞いていました。US は特にないのかなと思っておりますので、今いましては順調に、あまりでこぼこなくいくのではないかなとは思っています。

**村岡 [Q]**：いつも夏に値上げしがちなお薬で、今年はしなかったから、少し先食いがあったのかなという仮定の仮定の推測はあるのですが、そこは心配しなくて大丈夫ですか。

**宮本 [A]**：どこまで心配するかというレベルだと思いますが、少しはおっしゃったようなことは起きている可能性はありますが、そんなに大きくでこぼこはしないのではないかなと、イメージだけは持っています。

**村岡 [Q]**：このセカンドクォーターの良さが、とっても良かったと思うのですが、サードクォーター以降もアメリカは期待していいよと。

**宮本 [A]**：セカンドクォーターがすごく良く見えるのは、ファーストクォーターのへこみの部分もカバーしているところもありますのでと期待はしております。

**村岡 [Q]**：当たり前ですが、今完全に Ultragenyx から御社にコントロールが移っているので、御社が末端需要をしっかりと見ながら、良いモメンタムだとしっかりと把握しながらビジネスをやれているという理解は間違っていないですね。

**宮本 [A]**：市場の状況もよく分かるようになってきましたし、いろいろな説明の中でも、ご説明したアクティビティにより、どういう患者さんがどれくらいの感じで、いつ頃入ってきてみたいなのが手の上で見えるようになってきました。

スターティングフォームなどの数も順調に増えていますので、そういったものから見ると、年間通して見ればといういい方になってしまうかもしれないですが、非常に順調に伸びているなということで、今のところすごく安心できる状況だと思っております。

**村岡 [M]**：分かりました。ありがとうございます。

**若尾 [Q]**：JP モルガンの若尾です。二つお願いします。

rocatinlimab で、horizon の結果は発表されるということですが、horizon 以降の試験結果に関してはどう対外的にリリースされるのかは、今見通しは立っていますか。前は特にそこはまだ分からないとおっしゃっていましたが、いかがでしょう。

**山下 [A]**：前回と同じで、まず horizon を発表するところに今フォーカスしております。続いて結果が出てくるタイミングなど、それに応じて検討したいと思います。

**若尾 [Q]**：これは結構、2、3カ月の間隔でどんどん終了していくと思うのですね。そうすると、場合によっては horizon の後、連続的に終わっているものを対外的には発表せず、来年のどこかで最終的にデータがまとまったので申請しますみたいなこともあり得るのですか。

**山下 [A]**：まだその辺は確定していません。ただ、rocatinlimab が今のフェーズ3でこれから出てくる中で、こういった薬剤について説明を適切に進めていきたいなという思いはございます。

**若尾 [Q]**：もう一つは、アメリカに工場を建てることについて、具体的に教えていただきたいです。これは、そもそもバイオリアクター2基はどのくらいの規模感なのかと、なぜ自社で米国に建てることにしたのか。別に CMO とかを使えばいいのかなと思うのですが、なぜ CMO ではなくて自社にしたのか。

具体的に、この工場で今後つくっていくものは次世代抗体ということですので、今開発中のものがうまくいったら、ここで商用生産していくということですか。Crysvita などをここでつくるのか、そういう既存品をつくっていくことはないですね。

**宮本 [A]**：バイオリアクター2基に関してはそんなに、昔と違ってすごくでかいタンクを入れてということよりは、むしろとりまわしの良いものを考えていて、そんなに大きなものを2基つくるということではないです。むしろバッチをいっぱい回せるような方向、新しいやり方でやろうとしています。

米国につくる理由は、ご説明の中でもしましたとおり、一つは米国自体がバイオ医薬品の最大市場でもありますし、それで非常にバイオの生産に関しては人材が豊富です。要するに、PhD まで持っているすごく知識がある人もいるのですが、より現場で働く人の質、それから量が非常にアメリカは豊富で、人をリクルートするにはとても良いところです。

特に、ノースカロライナはご存じのとおりで集積していますので、カレッジもたくさんあって、非常に人をリクルートしやすいこともあります。ですので、そういったことを考えると、米国が非常に大きなポイントです。



このスライドで示したように、これまで培ってきた高崎での良さと、米国で最先端の技術や情報、それから人材を合わせることで、非常に面白いストラクチャーではないかなと思っています。ということで、協和キリンとしてバイオ医薬品の製造能力をこれまで以上に、1段、2段、高く持っていきたいという思いがあって、そう考えると米国がベストだと認識しています。

それから、つくるものに関しては、まずはノースカロライナの、先ほどご説明したように、多分、治験薬からつくることになるだろうなと思っています。なぜかというと、もう治験に入っているものは既に CDMO をかなり使っていますので、そういったものを動かすよりは、自分がこれから新しく始めていくようなもの、これはタイミングを見ながらですが、治験薬をつくる。

CDMO を使わない良さは、これは高崎でたいがいこういった新しいものの立上げは行うわけですが、それをラボレベル、ベンチレベルから製造レベルにスケールを上げるときは、技術移管するわけです。ですが、CDMO を使おうと思うと、まず相当前から CDMO のライン、バッチをキープすることから始まって、技術移管にかなり時間をかけてということがあるので、非常にフレキシビリティもアジリティも出てこないのですね。

お金もかなりかかりますよということなので、これは自社で回せると非常にフレキシビリティが高いですし、技術移管も非常に簡便に迅速にできますので、そういったスピード感がより出てくることで、自社の開発のスピード感がよりこれで高まることが考えられます。

ですので、最初の立上げはそういったものをねらっていますが、十分量の治験の候補品が出てくれば、かなりノースカロライナはそれでがんがん回せるだろうと思います。中には、思ったように進まないものが出た場合は、既存の製品をここでつくることで稼働率を上げる、それからダブルソースにしていくことも、両にらみで考えられる、オプションとしてこの工場も考えるいくつかのメリットがあるということで、自社工場と考えています。

**若尾 [M]**：大変よく分かりました。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。

一つ目は、計画比に対する進捗について教えていただきたいです。今回、グローバル品の Crysvida、Poteligeo というところ、第2四半期までの進捗、前年の進捗率等も踏まえると非常に順調なのかなと見えます。今回、計画の修正は為替前提で行ったというお話でしたが、実態ベースの部分でさらなる上振れもあり得るのかについて見方を教えていただけますか。

**川口 [A]**：今回の業績予想の修正に関しては、ご理解のとおり、現地通貨ベースでは変更せずに、為替の影響のみを乗せておるということです。逆に申し上げますと、年初の現地通貨ベースでの計



画はしっかり達成できるかたちで今考えておるといことです。当然、私どもとしても上振れは期待したいところですが、今申し上げられるのは年初の計画をしっかり達成したいといことです。

**植田 [Q]**：2点目が、研究体制の移行についてフォローアップでうかがいたいと考えております。今回、低分子創薬縮小といところですが、この辺りも ADC などほかのモダリティへの横展開も期待できるのかなと思ひます。

こういった決断に至った背景、また御社はこれまで4大創薬モダリティとしてお示しいただいた時期もあったかなと思ひますが、核酸や再生といった領域への取り組みは今後どうなっていくのかもあわせて教えていただけますか。

**山下 [A]**：まず、今回の研究を変更していこうといところが、Story for Vision というものを出していますように、われわれはよりフォーカスした領域でハイレベルな研究をしていく、あるいは将来のアンメットメディカルニーズに答えることができる研究、あるいはそういったモダリティにより集中していこうといことです。

そうした中で、低分子医薬を全く否定しているわけではないのですが、いわゆる低分子をスクリーニングして、そこからメディシナルケミストリーで低分子の創薬をしていくところにおいては、われわれ自身に、大きなそこにアドバンテージが何かあるかといと、なかなか見出せないところがあります。

そういったところは少し縮減していつて、より将来アンメットメディカルニーズに答えられるようなモダリティのほうにフォーカスしていく、それに応じてリソースもシフトして、そういったところで強みをつくっていきたいと、こういったコンセプトでやっているところでは。

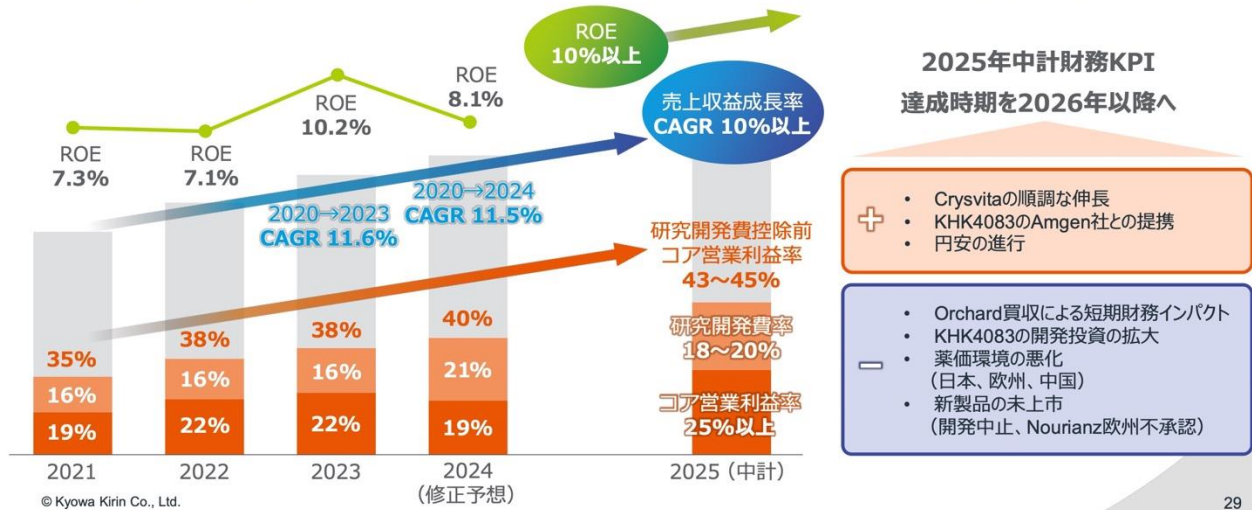
ご質問にありました、例えば ADC は、われわれの次世代抗体というモダリティの中の一つの技術要素として、あるいは発展形もまだあるかなと思ひており、そういった研究は続けてまいります。また、Orchard 社の買収で、セルアンドジーンセラピーなどに今フォーカスしていききたいなと考えております。

ご質問にありました核酸、再生については、将来可能性があるモダリティとしてはウォッチングして、ある程度の活動をもって参入機会をうかがう、そんな状況で考えているといるか、そんなところでは。

**植田 [M]**：承知いたしました。どうもありがとうございます。

## 2021-2025年中期経営計画 2025年財務指標の見直し

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



**酒井 [Q]**：今回いろいろ施策を、2030年ビジョンへ向けたということで、APAC事業の再編、研究開発体制の見直し、それからバイオ工場の建設、あとは欧州の再編もおやりになられたと思います。

これを踏まえて、結局、御社は中計の中で示された25年のKPI、29ページにあるこれは、2026年以降へということで、言葉は悪いのですが、たなざらしにされているのではないのかなという印象を持つてしまうのですね。

ですから、何も25年全部見直せといっているわけではないのですが、今までの施策を踏まえて、25年の数値がどのように変化していくのか。さらに、2030年に向けてどのようなかたちで進んでいくのかを少し示されたほうがいいのではないかなと思うのですね。

普通であれば、25年のガイダンスについては、来年の決算が出てからお話ししますよというのが通常だと思うのですが、既に御社は25年のKPIを出されていて、それが遅れることを1度明言されています。ですので、その辺についてはもう少しきちりと説明責任を果たされたほうがいいのではないかなと思います。その辺はいかがでしょうか。

**宮本 [A]**：説明責任というところですが、確かに25年の目標はすみません、見直させてくださいということで出したわけです。ですが、これを25年どういう感じになるのという辺りは、残念ながら今言っていたいたおりで、来年25年のはじめのときのガイダンスとしてお出しすることが精一杯かなと思っていますので、それでご勘弁いただければと思います。

それから、それ以降の話も、こういったいろいろな施策を踏まえた上で影響も見ながら、今後 25 年以降、どう 2030 年に向かっていくのかという辺りは、なんらかのかたちでお出しできればいいかなとは思っています。

**酒井 [Q]**：いずれにしても、それは rocatinlimab の話が明らかになってからということになりますか。

**宮本 [A]**：来年の 25 年のガイダンスを出すまでには、特に、確かに試験は 1 本は終わっていますが、他のはまだまだですので、rocatinlimab の状況はそのときに明らかになっているとは思わないです。とはいえ、中計最終年度でもありますので、rocatinlimab がこうなっていたらこうだよねみたいなベースを置きながら、なんらか少し将来に向けたガイダンスなりを出せないかと、今内部としては来年の既に計画もつくり始めており、相談しています。

**酒井 [Q]**：もう一つは、Orchard 社に関することです。今回、MLD の進展についてご説明いただいたので、理解が私なりにできたと思うのですが、まず Orchard 社の組織自体が今、御社のグループの中でどういうかたちになっているのか。

また、パイプラインの中に入っている OTL-203 と 201 は進行中ということで、Clinical Trials. gov を見ればある程度は分かるのですが、ぜひこの状況についてもあわせてアップデートしていただくと助かります。いかがでしょうか。

**宮本 [A]**：組織のほうは、当初から申し上げていたとおりで、基本的に Orchard 社の組織を大きく変えることはしないで、Orchard 社の組織のままでわれわれの下に付けている感じで今動かしております。

一方で、例えば研究のところなどのコラボレーションはかなり始まっており、双方の研究者が行ったり来たり、かなり頻度高く、研究の戦略について両社のトップクラスが集まって話をする機会などをつくっています。将来に向けて、造血幹細胞遺伝子治療や細胞治療、遺伝子治療といった辺りで、どういう辺りをねらっていこうとか、どの辺をターゲットにしてやろうかみたいな話をし、今かなり密なディスカッションも始まっています。

また、新しいわれわれが考えていた、やりたかった取り組みに関しても始められないかと、研究の部分はかなり密にコラボレーションしながら動いています。その他にも、われわれがもともと持っている欧米での組織、プラットフォームをうまく利用することで、Orchard 社のオペレーションがより効率良くできる場所があれば、積極的にいこうということです。

組織としては、繰り返しになりますが、Orchard 社としてまだ独立した状況にはありますが、いろいろなファンクションレベルで見ると、かなりコラボが始まっている状況です。

研究に関しては、山下から。

**山下 [A]**：ご質問にありました開発中の Orchard 社の二つは、OTL-203 は承認予定が 2029、2030 とご紹介しております。現在の状況は、いわゆる承認を取るための最後の試験にあたるもので、ムコ多糖症 1 型は標準療法として、Allo のいわゆる血液幹細胞移植があります。これを比較対象として、Orchard 社の遺伝子治療を組み合わせた血液幹細胞の移植で比較試験を進めていくと。

現在のところ、これは今年のエンロールメントの予定数は私どもで計画しているものはあるのですが、それはオントラックで進んでおります。ですので、このまま順調に進んで予定どおり結果が出ますと、2029 年あるいは 2030 年には承認を得られるかたちで進んでいくかなと思っています。

それから、OTL-201 は、PoC 試験が実際終わって、有効性が少数例ではございますが確認がとれたところで、OTL-203 に続いて承認を取得するための、いわゆるフェーズ 3 試験の準備を今進めています。

こちらは、PoC 試験の段階で比較的簡略なかたちで細胞のプロセッシング等を進めているところがありますので、これが将来の医薬品医療としてきちんとしたプロセスで、それもあわせて承認いただくところがございます。ですので、いわゆる CMC に相当するところの準備を今進めているところで、こちらがそれが整い次第、臨床試験に入っていく状況です。

**酒井 [Q]**：OTL-203 のフォローアップで、29、30 に承認を見込むということですから、まだしばらく時間がかかると思います。患者のリクルートの時間などがあると思いますが、これはこのくらいかかってしまうものなのですか、時間的に。

すみません、ざっくりした質問で恐縮です。

**山下 [A]**：この辺もリクルートして、治療して、その治療の効果がどの時間を区切って見ていったところで、これが効果ありと判定できるか、ここの時間がちょっとかかるかなと、これが 1 年単位でいいのか、3 年のデータが必要なのかで、遺伝子疾患では、特に小児や幼児、早期の治療では求められますので、アウトカムのリードアウトに時間がかかると考えています。

**酒井 [M]**：分かりました。どうもありがとうございます。

**和田 [Q]**：SMBC 日興証券の和田です。ありがとうございます。私も 2 点あり、rocatinlimab と研究体制の移行のお話で 1 点ずつうかがえればと思っています。

rocatinlimab は、サノフィの競合の amltelimab が 3 カ月に 1 回投与間隔のフェーズ 3 を進めていると思います。御社の rocatinlimab でそういった現状、ascend 試験などは 2 カ月に 1 回で進められているかなと思うのですが、ここを延ばされるご計画がないか、これが rocatinlimab に関する質問です。

研究体制については、低分子創薬、リソースを減らすというお話ですが、現状と将来の低分子創薬のリソース配分をどれくらいで見ているかをうかがいたいです。

国内企業、多くの企業は 9 割以上低分子に割いている会社も結構多くて、バイオ医薬品に注力している会社では 50% ぐらいのリソース配分かなというところまで下げているのをうかがっているところですが、御社の中ではバイオ医薬品と低分子の比率をどこまで下げるとご計画いただいているかがいたいです。

**宮本 [A]**：ありがとうございます。2 番目を宮本から簡単にお伝えします。細かいことは申し上げられませんが、思い切り直球の答えです。

既に相当、低分子側のリソースは低い状況にあると思っていて、それをより、先ほど山下から説明のあった次のモダリティに使えるものは残しておくけれども、伝統的な、例えばハイスループットシステムでスクリーニングして、それをメディシナルケミストリーで磨いていくところはかなり減らしてしまおうという感じですね。

ですので、現在もかなり、当社としてはバイオというか、新しいモダリティに寄っているのですが、今後、今まであまり手がつけられていなかった、リソースをあまり大きく加えられていなかった、遺伝子治療の場合は造血幹細胞遺伝子治療になりますが、そちらにリソースをより振り向ける必要があるということです。

ですので、先ほど言った施策によってリソースのアロケーションを変えることになります。そういう意味では、低分子の部分がより少なくなっていくということです。具体的な数字は勘弁してください。

**和田 [Q]**：追加の質問としては、低分子で、重点領域で良いものが出てきたら、それは外部から取るイメージを持てばいいということでしょうか。

**宮本 [A]**：ライセンスインに関しては、特に低分子、きらいだよとっているわけではないので、もちろん良いものがあれば取っていきます。また、今年春に発表したように、infigratinib はまだ日本の権利だけなのですが、BridgeBio さんからライセンス、これは低分子ですが取得していま

す。別に低分子がきらいでやめますといっているわけではないので、良いものがあれば外から入れる分にはオープンでいつも考えています。

**和田 [M]**：分かりました。ありがとうございます。

**山下 [A]**：山下より、最初のほうにもお答えします。

amlitelimab が長期作用型でローンチされてくるのではないかというところに関しては、われわれもそういうところは把握しており、このままでは製品のプロファイルでの差が出る場所ですね。

まず、rocatinlimab の立ち位置としては、amlitelimab に対して時間的なアドバンテージがあるので、まずここを重視していく意味では、早くローンチしていくことが大切だと思っています。もちろん、多くの市場を持っているデュピルマブ、その他の薬剤に早く入ってプレゼンスを上げていくことが重要かなと思っています。

実際に、amlitelimab の長期作用、rocatinlimab でもこれから検証していこうという議論も当然あります。その中には、これはまだまだ検討の余地があるかなと思っていますが、もちろん ascend をもうちょっと工夫していくこともあるかもしれません。あるいは、また新しい試験を追加で進めることもできるかもしれないし、いずれにしても、われわれのまだデータが出てきていませんので、少し ROCKET の最初のほうのデータも見ながら、次のアクションは変えていくかなという状況です。

**和田 [M]**：ありがとうございます。よく分かりました。

**都築 [Q]**：みずほ証券の都築と申します。ありがとうございます。

rocatinlimab が Q3 にトップラインというところで、これは 24 週後のデータの主要評価項目が出てくるとは理解しているのですが、それ以外にフォローアップの結果報告など、そういったものも出てくる可能性があるのか。ここはいかがですか。

**山下 [A]**：まだここも、われわれはまだアムジェンからも具体的な情報はいただいていませんので、詳細は回答できません。まずは、トップラインデータというかたちで開示させていただくと考えております。

**都築 [Q]**：もう 1 点が、この低分子の話が先ほども出ていたと思うのですが、ADC はそういう意味だと、御社のパイプラインにしっかりと入ってきているという思いはあります。ですので、私的には ADC をつくるとなると、リンカーも含めて有機合成である程度低分子は必要なのかなと思っているのですが、そこは大丈夫なのですか。



また、よりセルアンドジーンセラピーにフォーカスという、見せ方という意図ですかということですが、ここら辺ももしコメントをいただけたらと思います。

**山下 [A]**：セルアンドジーンセラピーは、新しく入ってきたモダリティとしてフィーチャーしていますが、われわれはもともとからあった抗体の強みを進化させるところにも注力していく、その中でADCを今いくつかラインナップしていますし、その研究はまだ進めております。こういったものは継続してまいります。

あとは、バイスペシフィックなど、抗体のさらなる応用をできないか、そういった研究もやっております。そういった意味で、今ご質問にありましたADCの部分にはきちんと注力するところに入っています。

**都築 [Q]**：あと1点だけ、APAC事業の再編のところで、利益は影響は大きくはないよという話だったと思うのですが、売上のところが現状、24年12期でどのくらいの影響があって、25年12期では、売上だとどのくらいの影響があるのか、もし開示いただけたらうれしいなと思いました。お願いします。

**川口 [A]**：まず、25年以降、今年の予想の売上が大体400億円に対して、来年はそれがほぼ半減すると、200億円ぐらい減るようなイメージでお伝えしたいなと思います。

それから、今年に関しては10月以降の移管で、少し供給価格が変わる部分で、本来であれば減少する部分があるのですが、一方で、現地法人の在庫を移管してパートナーに出荷しますので、その分で相殺されて、ほぼ今年の影響が軽微ではないかと予測しております。

**都築 [M]**：よく理解できました。ありがとうございました。

**山口 [Q]**：簡単に一つ、XLHのKK8123、資料上はフェーズ1準備中で特に変わっていないですが、この3カ月で何かアップデートできるものがあるのか。Crysvitaにとってどういう存在となるのか。いつから臨床試験を始めるのか。もしアップデートがあったら教えてください。

**宮本 [A]**：ここは、Ultragenyxとの約束もあり、今開示している以上のものはお話しできないということです。着々と準備は進めておりますので、わりと近々にはフェーズ1が始まったよということをお伝えできるのではないかなと思っています。すみません、その程度で勘弁していただければ。

**山口 [Q]**：Ultragenyxとの約束は、何かUltragenyxと一緒にやっているという意味ですか。

**宮本 [A]**：当然、Crysvitaの競合品になりますので、そこはUltragenyxともちゃんと手を握りながらというか、アグリーメントも持ちながらということで進めています。

**山口 [Q]**：二つ目に、rocatinlimab のポンチ絵というのですか、細胞の絵を見せていただきありがとうございます。一方で、OX40 リガンドの抗体のやつは、これとはちょっと違うところ、より前のところで働き、結果的に Tcell といっても健康な Tcell もこの OX40 だとやっつけちゃうので、安全なんじゃないのみたいな言い方をしていると思います。

この OX40 リガンドのアプローチとこちらのアプローチの差が1枚のチャートにあるとありがたいのですが、このチャートから OX40 リガンドのアプローチとの差別化は、何か言えることはあるのでしょうか。

**宮本 [A]**：宮本です。もし間違ったことを言ったら、山下が訂正してくれると思います。

OX40 自体が、Tcell の、われわれがここで言っている病原性 Tcell、Pathogenic Tcell の細胞の表面に出てくるものですので、rocatinlimab はそこを直接ねらいにしているということです。しかも、ポテリジェント技術も搭載していますので、比較的効率良く病原性細胞の数を減少させることができるところが、大きな差だと思っています。

リガンドのほうは、おそらく直接は病原性の T 細胞にアプローチするのではなくて、OX40 をアクティベートするリガンドに対しての抗体ですので、その差はあるのだろうなと考えています。

山下さん、何か追加でないですか。

**山下 [A]**：今の説明のとおりかなと思いますが、このポンチ絵でいうと、オレンジがかった色に塗られているものが OX40 を発現している細胞です。先ほどご説明のように、rocatinlimab のほうではディプリーションを少しするので、この色の付いたものが少し、細胞自体の数が減る。

そこにおいて、このリガンドレセプターのバインディングを抑制するだけだと、この細胞自体が減るところが弱いのではないかということです。その辺に差が出てくるのではないかなと想定している絵です。

**山口 [M]**：分かりました。ありがとうございます。

**酒井 [Q]**：UBS 酒井です。1点だけです。

ちょっと気になった件で、ジーラスタ自体が薬価改定や BS の影響で下がるのは説明いただいていると思います。ですが、ポディーポッドは、医療現場からちらりと聞いたのですが、デバイスが外れるケースがかなりあって、かなりとは言っていませんでした、いくつかあって、ちょっと使いにくいという話を聞きました。



コンプライアンス、それから品質という面で、今後のポディーポッドの売上といたしますか、考え方、製品の立ち位置に影響を及ぼす話なのか。これを教えていただけますか。

**宮本 [A]**：酒井さん、ありがとうございます。宮本です。医療現場の情報もさすが拾っておられるということで、感心しました。

おっしゃるとおりで、初期、われわれも初めてのデバイスということもあり、想定していなかった不具合が出てきたことはあり、医療現場の方々にご迷惑をかけた事態が、それなりの数が出たのは間違いないです。それは、おっしゃるとおりです。

これはテルモさんと組んで、そういった不具合に対して今、いろいろなミティゲーションも手を打っており、この短い期間でかなり改善したものが既にできつつありますので、今後はそういったことも落ち着いてくるのではないかなと思っています。

ただ、いずれにしても初めてのデバイスでして、やってみて分かることが結構あったなというところですね。ですので、繰り返しですが、初期のところでもいろいろ関係者の方々に若干迷惑をおかけしたのですが、とはいえ比較的順調に出ていますので、ちゃんとお使いいただいている先生方、患者さんには非常によろこんでもいただいています。ですので、これは継続して改善して、ちゃんとお届けできるようにしたいと思っています。

**酒井 [M]**：分かりました。ありがとうございます。

**村岡 [Q]**：先ほどの質問、自分でちゃんとしたか覚えていなかったもので、あらためてです。

今年の R&D Day は、いつも年末 12 月ぐらいにやっていると思うのですが、これは予定されていますか。もし日程等がある程度見えているのであればシェアしていただけると助かります。

**司会 [A]**：村岡様、ありがとうございます。

R&D 説明会の企画自体は現在、検討しております。まだ日程のご案内ができておりませんで、申し訳ございません。決まり次第、あらためてご案内いたします。もうしばしお待ちいただけますか。

**村岡 [Q]**：それと、裏表かもしれないのですが、rocatinlimab の学会発表は、例えば 10 月末にある ACAAI という免疫の学会があるのですが、この辺りは有望視して見ておいてもよろしいでしょうか。言いにくいことがいっぱいあると思うのですが。

**山下 [A]**：山下でございます。まだ学会発表については何も明らかにできることはございませんので、コメントとさせていただきます。

**村岡 [M]**：分かりました。ありがとうございます。

**司会 [M]**：こちらをもちまして、2024年12月期第2四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願います。

以上