



## 協和キリン株式会社

2024 年 協和キリン Orchard Therapeutics 社 IR 説明会

2024 年 4 月 8 日

## イベント概要

---

[イベント名] 2024 年 協和キリン Orchard Therapeutics 社 IR 説明会

[日程] 2024 年 4 月 8 日

[登壇者] 2 名

代表取締役社長 CEO

宮本 昌志 (以下、宮本)

Orchard Therapeutics plc CEO

ボビー・ギャスパー

(以下、ギャスパー)

## 登壇

---

**司会**：それでは、ただいまより、Orchard Therapeutics 社に関するオンライン説明会を開催いたします。

**司会\***：日本語バージョンでお聞きになりたい方は、通訳のボタンより、通訳の言語をお選びください。

**司会**：本説明会の開催に先立ちまして、注意事項がございます。本日まで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 Web サイトに公開いたしますので、その点、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。

本日まで紹介する内容には、将来に関する記述が含まれます。様々なリスクにより、不確実性などがございますのでご了承ください。本日のスピーカーは、代表取締役社長、宮本昌志、Orchard Therapeutics 社、CEO、ポビー・ギャスパーの 2 名でございます。

ポビーさん、カメラとマイクをオンにしてください。ありがとうございます。

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します。

それでは、宮本さん、よろしくお願いいたします。

# 本日のアジェンダ

- ◆ Orchard Therapeutics社獲得の背景  
- 代表取締役社長 CEO 宮本 昌志
- ◆ Orchard Therapeutics社とHSC-GT\*について  
- The CEO of Orchard Therapeutics plc, Bobby Gaspar, M.D., Ph.D.
- ◆ HSC-GTに関する今後の計画  
- 代表取締役社長 CEO 宮本 昌志

\*造血幹細胞遺伝子治療

**Kyowa KIRIN**

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

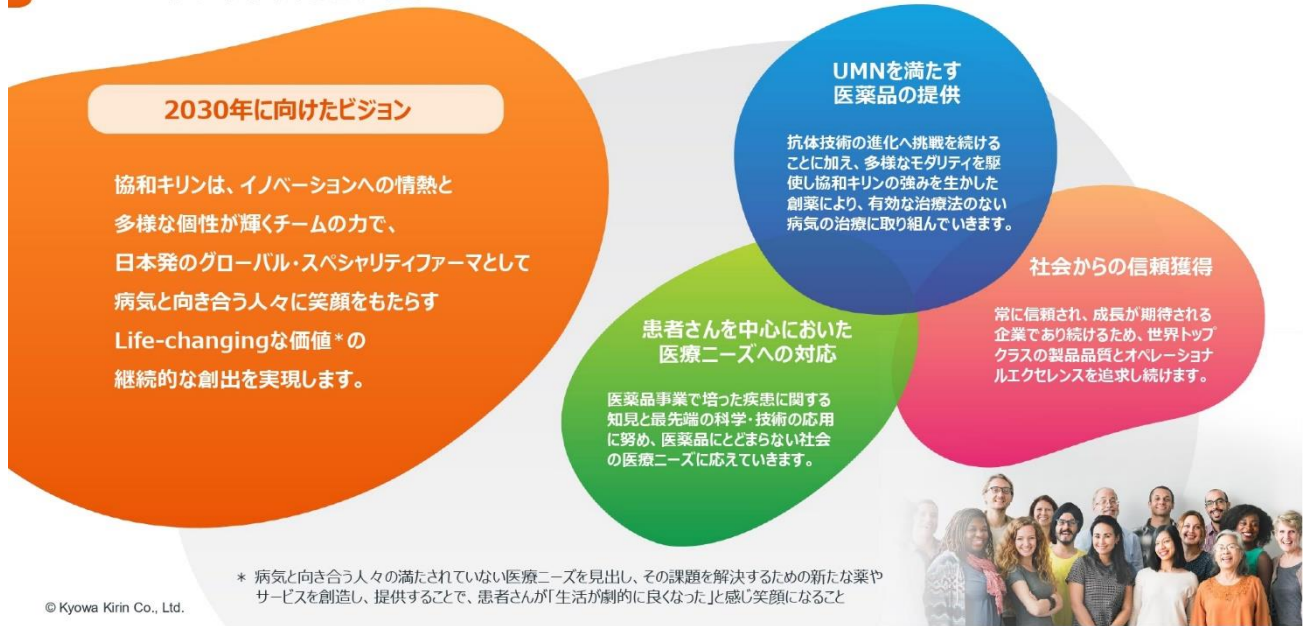
**宮本：**皆様、本日はご多用の中、本説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。本日は今年1月に買収完了いたしました、Orchard Therapeutics 社に関してのご説明をいたします。

Orchard 社は、皆様ご存知の通り、造血幹細胞遺伝子治療という非常に優れた技術を持つ米国の企業であります。2020年、この技術プラットフォームを利用した、Libmeldy が欧州で承認され、既に対象の患者さんにご使用いただいています。さらに本年3月には、FDA から Lenmeldy としての承認も獲得し、これに続く開発パイプラインも臨床試験が進行中であります。

本日は、こちらにお示ししましたアジェンダの通り、最初に私から、我々が考える Orchard 社を仲間に入れ、加える意義と戦略をご説明いたします。次に、Orchard 社 CEO であります、ボビー・ギャスパーから、この Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy という技術プラットフォームについて、そしてこれを用いた Libmeldy、Lenmeldy や、現在開発中のパイプラインについてご説明を差し上げます。

最後に私から、ラップアップとして、Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy に関する今後の計画についてお話をいたします。

## 2030年に向けたビジョン



これが当社の2030年に向けたビジョンであります。

ここで私達は、日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして、病氣と向き合う人々に笑顔をもたらす、Life-changingな価値の継続的な創出を目指しているということを宣言しています。

協和キリンがOrchard社を仲間に迎え入れるという決断をしたのは、このビジョンにまさに合致する企業であったと考えたからです。

## Story for Vision 2030

### Life-changingな価値を創出・提供するための戦略



こちらは今年2月の決算説明会でご紹介しました、Story for Vision 2030 です。

これは先ほどの2030年に向けたビジョンの解像度を上げて、Life-changingな価値を創出し提供するための戦略を明示したものであります。疾患サイエンスでは、注力する疾患領域を設定し、創薬テクノロジーでは、革新的なモダリティへのシフトを進め、外部との連携により、当社からもイノベーションを呼び込み、これら全てを駆使して、Life-changingな価値の創出を目指します。

こうして得られた価値というものは、自社で注力するアセットとするか、戦略パートナーリングが必要なアセットなのかっていうのを見極め、それぞれに適した戦略をとって、価値の最大化を図っていきたいと考えています。

このストーリーの中で、Orchard社が我々の仲間に加わるということで、我々が注力する希少疾患に関してのパイプラインを得るのはもちろんのこと、創薬テクノロジーにおける革新的なモダリティへのシフトを強く押し進められると考えています。

KYOWA KIRIN

## なぜOrchard Therapeutics社を獲得したのか？

### 内部変化

- 骨・ミネラル、血液がん・難治性血液疾患、希少疾患が強みのある疾患領域に
- Rocatinlimabの価値最大化、いくつかのパイプラインの開発中止などによりポートフォリオが変化
- グローバル体制の進展と共に、多様なスキルや仕組みを取り込み成長できる組織へ

### 外部変化

- 有効な治療法が存在しない疾患への解決策
- 個別化医療
- 根本治療の実現に向けた社会的要請が増大している

### 創薬研究における課題

- 従来の抗体・低分子などの創薬ターゲットが枯渇
- 遺伝性疾患・希少疾患はターゲットが存在するがアクセス方法が限定的

## Orchard Therapeutics社の技術・パイプラインに着目

- 造血幹細胞遺伝子治療（HSC-GT）による遺伝性疾患・希少疾患へのアクセス向上
- Libmeldy™/Lenmeldy™ — 治療法が存在しない疾患の根本治療に向けた挑戦
- 協和キリンの研究開発との融合による新たな価値創造への期待

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

4

ここまでに至る経緯を、少し具体的にご説明したいと思います。当社の内部変化としては、Crysvita、Poteligeoのグローバル展開によりまして、骨・ミネラル、血液がん・難治性血液疾患、希少疾患が強みのある疾患領域になりつつあります。

また、この間、後期の開発パイプラインの中止がありましたし、一方でRocatinlimabをアムジェンとのコラボレーションをスタートすることによって価値最大化を目指していったように、ポートフォリオに変化が生じました。



また、当社はグローバル体制の進展とともに、多様なスキルや仕組み取り込み、成長できる組織に変化しつつあります。

次に外部の変化を見ますと、技術の発展に伴い、有効な治療法がない疾患への解決策や、個別化医療、根本治療の実現に向けた社会的要請が増大してきています。さらに、現在の創薬研究に関する課題を見ていきますと、旧来の低分子や抗体といったモダリティでは、創薬ターゲットの枯渇が問題になりつつありますし、一方、遺伝性疾患や希少疾患には、まだアンメットメディカルニーズが多数存在しているということですが、そういったものにアクセスする方法が限定的な状態であるということだと思っております。

こうした変化に対応し、課題を解決していくための方法の一つとして、魅力的な技術とパイプラインを有する、Orchard Therapeutics 社に注目すべきだと考えたということでもあります。

つまり、Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy は、遺伝性疾患や希少疾患へのアクセスに大きく寄与する技術でありますし、Libmeldy・Lenmeldy は、現在有効な治療法の存在しない疾患の根本治療の実現を可能にするような治療法だと考えています。

加えて、Orchard 社と協和キリンの研究開発を融合させていくということで、全く新しい価値創造を追求することが可能だと考えました。

このように、Orchard 社が我々のチームに加わり、当社が認識した環境変化と課題に対応し、2030 年に向けたビジョンを実現するための中長期的な成長に資するものだと考えています。

**KYOWA KIRIN**

## **Bobby Gaspar – the CEO of Orchard Therapeutics plc**



### **■ Bobby Gaspar, M.D., Ph.D.**

- Co-founder and chief executive officer of Orchard Therapeutics
- Studied medicine and surgery at Kings College in London
- Completed Ph.D. at the UCL Great Ormond Street Institute of Child Health

それではここから、Orchard 社の CEO、ボビー・ギャスパーから、Orchard 社と同社が保有する Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy とプロダクトについてご紹介いたします。

このスライドにお示ししておりますように、ボビーは CEO、経営者でもありますけども、彼自身が医師であり、Ph.D.を持つサイエンティストでもあります。その視点から、改めて Orchard 社、それから、Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy について語ってもらうことで、今回の意義や今後について、皆様により深くご理解いただけるものと考えています。

それでは、ボビーさん、プレゼンテーションをよろしくお願いいたします。



**ギャスパー\***：宮本さん、ありがとうございます。また皆さん、こんにちは。私、Orchard Therapeutics の CEO、共同創業者のボビー・ギャスパーです。

本日、説明会に参加をさせていただき、当社の HSC-GT、造血幹細胞遺伝子治療プラットフォームについてお話できることを大変嬉しく思います。協和キリンが Orchard の買収を完了して、75 日が経ちました。

次のスライドでお話をしますように、必要な患者さんに Life-changing な価値を提供するという私達の共通のビジョンの実現に向けて、既に多くの進展がございます。

いくつか重要な分野に焦点を当て、お話をさせていただきますが、まず Orchard Therapeutics 社がパイオニアである HSC-GT アプローチについて、詳しくお話をします。次に、この大変な希少神経代謝性疾患への対処を目指した後期段階のパイプラインについて、掘り下げてお話をします。



そして最後に、Orchard と協和キリンを遺伝子治療、グローバルなリーダーとして[音声不明瞭]計画をご紹介します。



**We aspire to end the devastation caused by genetic and other severe diseases through the curative potential of HSC gene therapy.**

Orchard 社は、治癒の可能性のある HSC-GT を通じて、重篤な遺伝性疾患による苦しみを終わらせるべく、2015 年に設立しております。このスライドにある家族の写真ですが、当初のアプローチの潜在的なインパクトを説明しています。

こちら、コニーとジョーのストーリーです。残念ながら、ストレッチャーに乗っている少女、コニーは、異染性白質ジストロフィー、MLD と呼ばれる疾患を持って生まれました。この病気は大変な神経変性疾患で、最初は正常に発育していた赤ちゃんが、数年後には歩いたり話したり、周りの世界と交流したりする能力を失い始めます。コニーが診断された時点で病気は進行しすぎており、遺伝子治療の恩恵を受けることはできず、支持療法と終末期医療が唯一の治療法であるというような状況でした。そして残念なことに、この写真が撮られた後、コニーはこの世を去りました。

この壁沿いに座っている弟のジョンも MLD です。彼は、コニーの病気のおかげで早期に診断をされています。同じ遺伝子変異を持っていました。そして、幼児期に HSC-GT を受けることができました。

右の写真は、遺伝子改変細胞を 1 回投与した 5 年後の写真です。今日に至るまで、彼は病気の兆候も症状もなく、学校に通い、スポーツに参加をし、友達と遊ぶという基本的に普通の生活を送っています。このことは、患者さんの人生を変える可能性を持つ、私達のアプローチのインパクトを示しています。



## Orchard Therapeutics: A global gene therapy leader

**Our Mission** Dedicated to ending the devastation caused by severe genetic diseases through the curative potential of hematopoietic stem cell (HSC) gene therapy

**Our Approach**  
Our approach harnesses the unique power of a patient's own genetically modified HSCs, to potentially correct the underlying cause of a genetic disease permanently with a one-time treatment.

**Our Focus**  
We are focused on treating severe genetic disorders where the disease burden on children, families and caregivers is immense and current treatment options are limited or do not exist.

**Global footprint:**  
~170 Employees

**Established presence in:**

- France
- Germany
- Italy
- Netherlands
- Sweden
- Switzerland

**Global headquarters**  
London

**U.S. headquarters**  
Boston

**101 Seaport Blvd**  
U.S. headquarters

**245 Hammersmith Road**  
Office, laboratories and global HQ

**Orchard**  
therapeutics

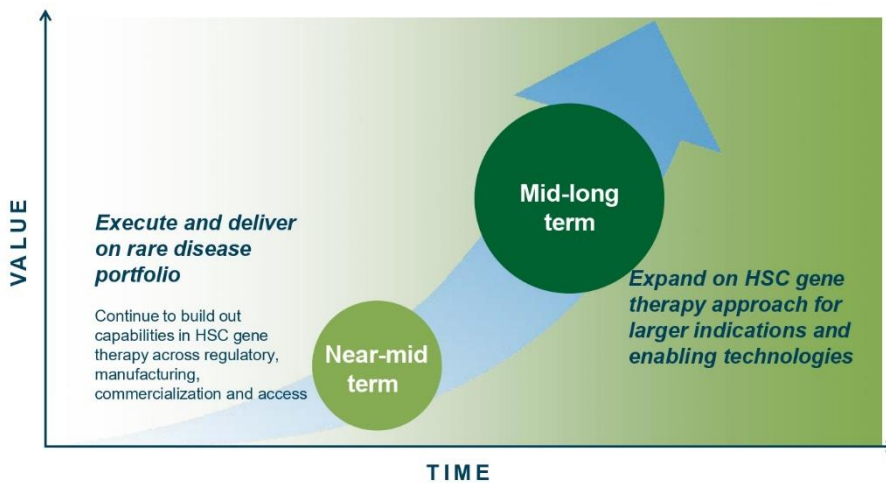
8 |

創業以来、Orchard は大きく成長してきました。ロンドン本社にラボとオフィスを構え、グローバルなプレゼンスを確立しています。また、ボストンには商業、財務、その他のサポート部門の拠点があります。

現在、Orchard の従業員数は約 170 名で、英国に約 100 名、米国に約 40 名、そして残りその他の欧州諸国の拠点到従業員がおります。



## Strategic long-term growth and value creation with expansion into larger indications



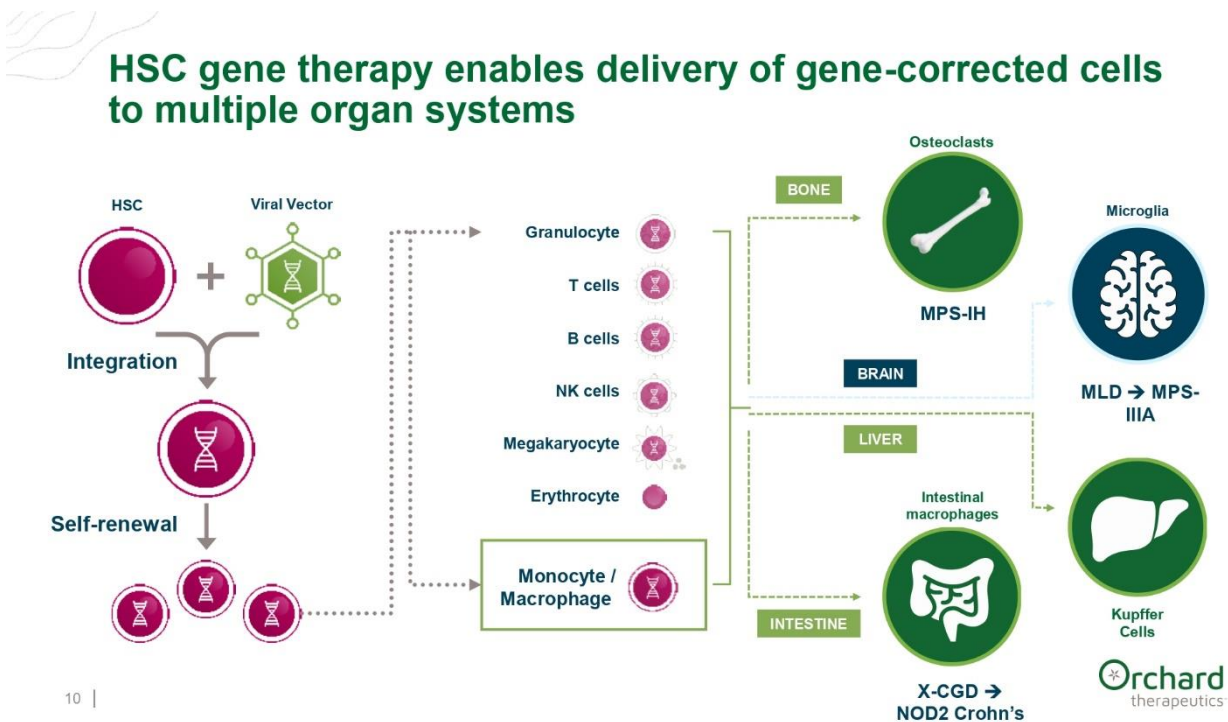
9 |



Orchard には、短期・長期的な成長の明確なビジョンがあります。

短期的には、欧州と米国で売上収益を伸ばし、地理的な拡大、地域を定め、次のプログラムを承認申請に向けて進めることで、希少疾患ポートフォリオの実施と提供を継続していきます。

HSC 遺伝子治療には、さらに大きな可能性があると考えています。より有病率の高い一般的な疾患への応用に取り組み、長期的な成長と持続可能性を推進していきます。



10 |

それでは、私達のビジョンを可能にするサイエンスについて、少しお話をしたいと思います。

Orchard Therapeutics が先駆者であるアプローチは、患者さん自身の造血幹細胞を使用します。造血幹細胞には多くの重い遺伝性疾患に対処する理想的な治療プラットフォームとなる三つの重要な特徴がございます。

第1に、レンチウイルスベクターを用いて、これらの細胞に障害遺伝子の機能性コピーを挿入します。レンチウイルスベクターは、治療遺伝子を標的細胞のゲノムに組み込みます。基本的に、これはゲノムにハードウェアにされるということを意味します。細胞が分裂するとき、遺伝情報がその子孫に受け継がれるわけです。これが他の種類の遺伝子治療で使われるウイルスベクターとの差別化のポイントです。

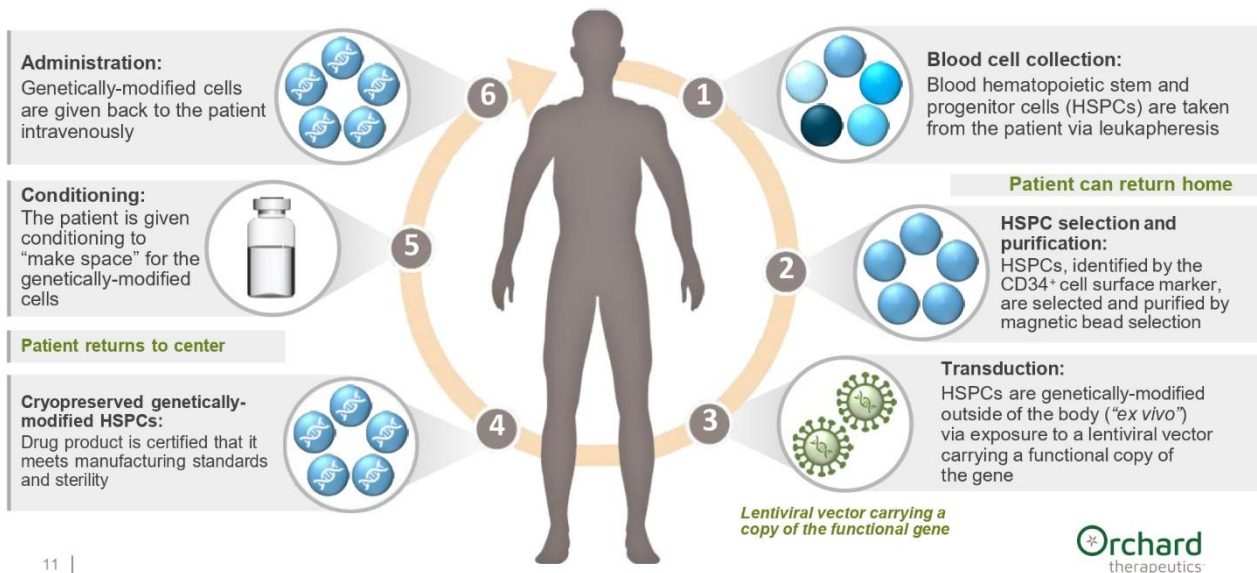
もう一つの重要な特徴は、この遺伝子改変造血幹細胞ですが、自己再生ができるということです。統合と自己再生のプロセスを通じて、持続性のある長期的な効果を得られ、一度の治療で疾患の根本的な原因を是正できる可能性があります。



最後に HSC は複数の細胞タイプに分化できます。したがって、様々な疾患に対応することが可能です。例えば HSC は、単球やマクロファージと呼ばれる細胞に分化し、様々な組織や臓器に移動することができます。血液脳関門を通過して、中枢神経系に治療用タンパク質や酵素を送達するようなことも可能です。

これが、MLD のような重度の神経代謝性疾患や、より一般的な神経変性疾患を治療できる理由です。また、他の治療法では、容易に医薬品開発のできない腸やその他の臓器系の疾患にも対処する機会が、これによって可能となる、与えてもらえるということになります。

## Autologous ex vivo gene therapy approach



11 |

治療プロセスの概要です。

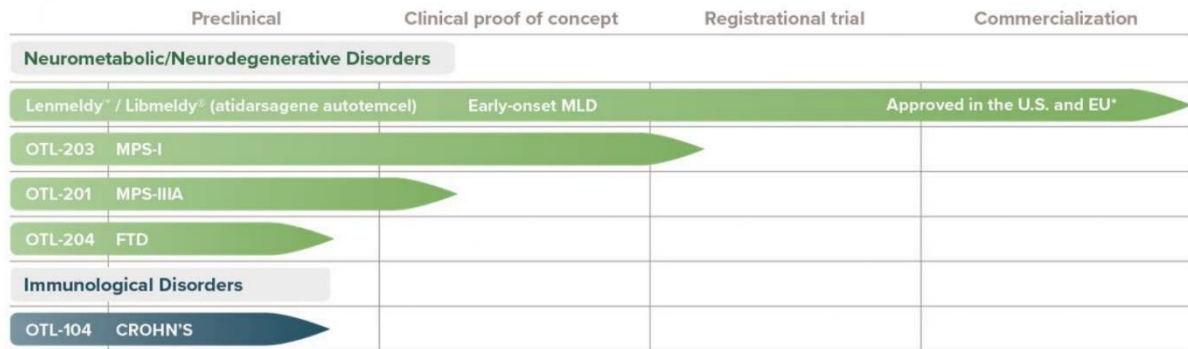
HSC はまず、アフェレーシスと呼ばれるプロセスで患者さんの血流から採取されます。そして、イタリアのミラノにある当社の集中製造センターに送られます。そこで細胞を分離し、新しい遺伝子を持つウイルスで形質導入をし、遺伝子改変細胞が作られます。

遺伝子改変された細胞は凍結保存され、品質検査の後、出荷され、患者さんのいる治療センターに返送されます。患者さんは、化学療法を受けた後、改変細胞が再注入されます。平均して、このプロセスは細胞採取から再注入まで約 5 週間かかりますが、治療スケジュールによって多少変動があります。

重要な点は、患者さんではなく細胞が輸送されるということです。細胞製造は 1 カ所で行いながら、治療はヨーロッパ、そしてまもなくアメリカでも複数の施設で可能になります。



## Advancing a pipeline to address serious genetic diseases



\*Lenmeldy<sup>®</sup> is approved in the U.S. for the treatment of children with pre-symptomatic late infantile, pre-symptomatic early juvenile, or early symptomatic early juvenile metachromatic leukodystrophy (MLD). Libmeldy<sup>®</sup> is approved in the European Union, UK, Iceland, Switzerland, Liechtenstein and Norway.

12 |



こちらは、ポートフォリオ、パイプラインの概要です。

Lenmeldy、最近 FDA から承認を受けたものと、それから欧州では Libmeldy として知られております。これも商業化に成功しています。これも含まれています。

そして、次の希少神経代謝性疾患の治療薬として、二つの後続プログラムがあります。MPS-I、ハーラー病、そして OTL-203 と、それから MPS-III A、サンフィリッポ症候群 A 型の治療薬の OTL-201 です。

また、研究パイプラインの初期段階では、認知症やクローン病の一般的な遺伝的サブジェクトに対するアプローチの可能性も探っています。そして協和キリンとの共同研究により、このアプローチを用いて、様々な機能性細胞の作成にも取り組んでおります。





## Strong operational execution already in 2024



13 |



後期段階の神経代謝パイプラインを深く掘り下げる前に、2024年に達成した成功例を見てみたいと思います。重要なこととして先月、*Lenmeldy*がFDAより、小児の早期発症型MLDの治療薬として承認されました。この画期的な出来事は、米国内の対象となる小児に多大な新しい可能性を開くものであります。

そしてこのマイルストーンを見越して、既に米国のフィールドチームの方の準備を進めておりました。そしてさらに、欧州では新生児スクリーニングやその他の疾患教育活動を通じて、治療対象となる患者を特定し続けております。2024年には、前年比売上高を大きく伸ばす見込みであります。

また、ベルギー、オランダ、アイルランドを含むいくつかの加盟国で、*Libmeldy*への保険償還が可能になった、Beneluxa initiativeとの合意を受けて、地理的な拡大の計画を実行し続けております。

最後に、MPS-IH患者を対象とした、造血幹細胞遺伝子治療薬、OTL-203の有効性と安全性を評価する登録試験において、最初の患者がランダム化されました。この試験においては、OTL-203による治療と、同種造血幹細胞移植による標的治療を比較するものでありまして、米国と欧州の各地で40名の患者さんが登録される予定になっております。



## Lenmeldy™ / Libmeldy® (MLD): Potential significant clinical benefit for a devastating genetic disease



Age 5, pre-diagnosis



Age 9, advanced disease

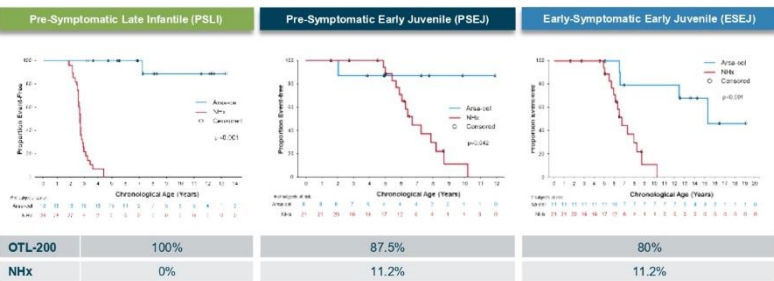
### Disease Snapshot

- Fatal genetic CNS disorder
- Rapid and irreversible loss of motor and cognitive function
- In its most severe form, most children pass away within five years of symptom onset<sup>1</sup>

### Severe Motor Impairment Free Survival (sMFS)

Interval from birth to first occurrence GMFC-MLD  $\geq 5$  (no locomotion and unable to sit) or death

Treatment with OTL-200 resulted in statistically significant and clinically meaningful improvement in sMFS in the PSLI ( $p < 0.001$ ), PSEJ ( $p = 0.042$ ) and ESEJ ( $p < 0.001$ ) MLD subgroups compared to disease natural history.



Data presented at the Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism (SSIEM) Annual Symposium 2023, August 2023

14 | 1. van Rappard DF, Boelens JJ, Wolf NI. Metachromatic leukodystrophy: disease spectrum and approaches for treatment. Best Pract Res Clin Endocrinol Metab 2015; 29: 261–73.



こちらのスライドでは、Lenmeldy の臨床開発プログラムで観察された影響について解説します。このデータは、初期に治療を受けた患者における、12 年以上の追跡調査によって裏付けられています。

左のグラフ、これは Lenmeldy 治療によって生存期間が有意に延長したということ。そして、未治療であれば、重度の認知運動障害を示す年齢を過ぎても、ほとんどの乳児期後期、MLD において運動機能と認知機能が維持されたということを示しています。

そしてこれは、未治療の患者であれば、通常、症状発現から 5 年以内に亡くなってしまふという最も重症の病気におけるデータであります。また、Lenmeldy によって、一部の早期若年性の MLD において、未治療の患者さんと比べて、予想されないような運動機能および認知能力の維持が認められました。しかし、これはグラフにすぎません。



## All 7 surviving PSEJ patients maintained the ability to walk with normal performance for age (GMFC-MLD Level 0)



**Untreated NHx sibling**  
**GMFC-MLD Level 6**  
**3 years post-onset**  
**8 years of age**



**Treated Child**  
**GMFC-MLD Level 0**  
**8 years post-GT**  
**12 years of age**

15 |



次に、スライド9番です。




こちらでは実際に、劇的に違う結果を2人のMLDの患者さんで見ることができます。ちなみに2人は兄弟です。1本目のビデオです。

こちらは冒頭でご紹介したコニーです。残念ながら診断が遅かったため、治療ができませんでした。1人では歩くことも動くこともできませんでした。そして、介助なしで座ることもできず、経管栄養が必要で、悲しいことにこの撮影後、まもなく亡くなってしまいました。

それでは、二つ目のビデオです。これが我々の遺伝子治療です。症状を伴わない早期若年型のMLDです。治療から8年後ですけれども、ご覧のように廊下を走る能力を維持しています。この遺伝子治療による早期介入の潜在的な変革的な効果を示していると思います。



# Pioneering Commercial Operations Leading to Sustainability

Access	Reimbursement	Treatment																
	<p>Secured for all eligible MLD children</p> 	<p>Early access program: AP2 granted and renewed (France)</p> <p>Treatment abroad: Named patient program in the Middle East established (Saudi Arabia)</p> <p>Cross border: European pathway (S2) leveraged in multiple CEE countries</p>  <table border="1" style="margin-top: 10px;"> <thead> <tr> <th>Europe &amp; Middle East</th> <th>2022</th> <th>2023 (1H)</th> <th>Total</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Leads</td> <td>98</td> <td>54</td> <td>152</td> </tr> <tr> <td>Confirmed MLD</td> <td>73</td> <td>40</td> <td>113</td> </tr> <tr> <td>LJ or EJ MLD</td> <td>57</td> <td>31</td> <td>88</td> </tr> </tbody> </table>	Europe & Middle East	2022	2023 (1H)	Total	Leads	98	54	152	Confirmed MLD	73	40	113	LJ or EJ MLD	57	31	88
Europe & Middle East	2022	2023 (1H)	Total															
Leads	98	54	152															
Confirmed MLD	73	40	113															
LJ or EJ MLD	57	31	88															
<p>Patients treated across all six qualified treatment centers in Europe</p>	<p>Landmark agreements secured in a dozen European countries for all eligible MLD children</p>	<p>Focus on lead generation, disease awareness and diagnosis</p>																

16 |



それでは、10 番目のスライドです。

我々のイノベーションは臨床現場にとどまりません。欧州、そして今回の米国での承認により、コマーシャルチームとメディカルチームは MLD の KOL や患者コミュニティとともに、的確な患者を特定し、紹介し、治療をサポートする活動を続けています。

最近、Beneluxa で承認された Libmeldy を含め、欧州の各地域で Libmeldy を保険適用で入手できるよう、大きく前進しました。また、他の欧州の国々でも保険償還の拡大に向けて話が続いています。

さらに、フランスにおける早期アクセス、統合における国境を越えたパスウェイ、そして中東における海外治療のプログラムなど地理的な拡大にも成功しており、これらは上市の比較的早期の段階における重要な成長ドライバーとなっています。

現在までに、欧州の 6 カ所の認定センター全てにおいて、6 カ国の患者を、商業ベースで治療してきました。

多くの希少で生命を脅かす小児疾患と同様、早期発見・診断が患者さんにとっては最良の転機を確保する鍵であります。そして我々は、ウィルソン、またユングナーのような基準を満たす MLD の新生児スクリーニングを拡大する努力を支援しています。



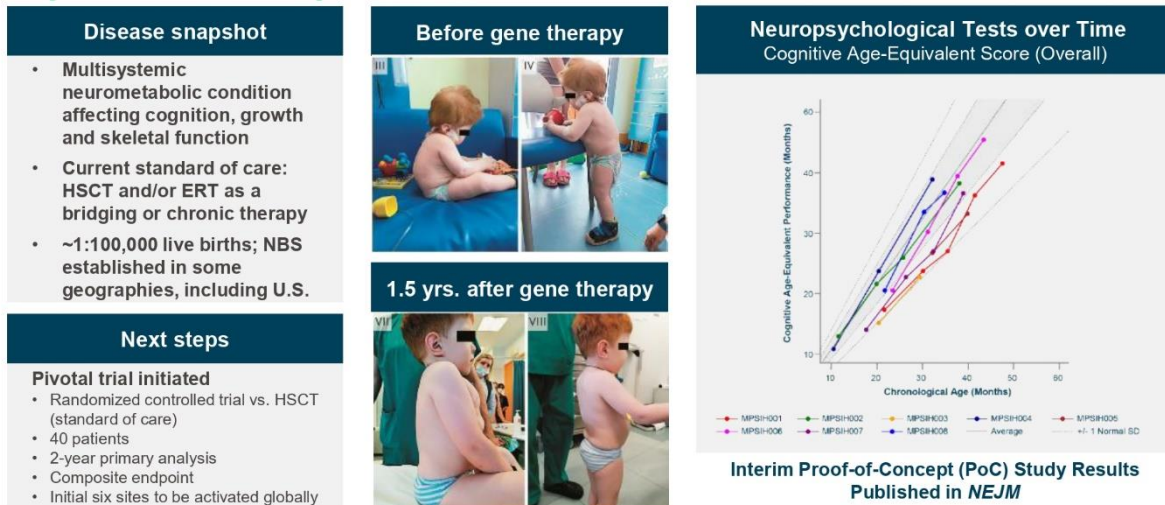
現在、米国・欧州・中東で、MLDに関する10件の前向き研究が実施されており、3月31日現在で27万5,000人の新生児がスクリーニングを受けています。研究から得られたデータは、米国および世界中でMLDのスクリーニングを申請するための重要なエビデンスとなります。

研究結果に基づき、マルチステークホルダーの作業部会が、米国の推奨統一スクリーニングパネル、RUSPにMLDを追加するための最終的な推薦書を作成中であります。

RUSPというのは、連邦政府が全ての新生児にスクリーニングを推奨する医学的条件のリストを示す国家ガイドラインです。各州は、新生児スクリーニングパネルにどの疾患を含めるかを決定するために、RUSPを使用しています。現在の情報に基づきますと、2024年の半ばには推薦書が提出されると予想しています。



## OTL-203 (MPS-IH): Disease background & NEJM interim proof-of-concept results



17 | SD = Standard Deviation; IQ(C) = Intelligence Quotient (Cognition);  
Engl J Med 2021; 385:1929-1940 DOI: 10.1056/NEJMoa2106596



次のスライドをお願いいたします。

それでは、Orchard Therapeuticsの次のプログラムを見ていきたいと思います。

MPSです。これも希少で重症の多系統、神経代謝疾患です。こちらは、治験中の造血幹細胞遺伝子治療であるOTL-203のMPS-I、ハーラー病患者さんにおける、中間的な概念実証結果です。

MPS-Iというのは、IDUA、リソソーム酵素の欠損により、グリコサミノグリカン、GAGとして知られる多糖類が複数の臓器に毒性レベルで蓄積する稀な遺伝性代謝疾患であります。MPS-IはMLDと同様、世界的には10万に1人と推定されています。



MPS-I の子供の約 60%は、最も重症の MPS-IH、ハーラー症候群であります。そして、未治療ですと、10 歳を超えて生きるとは難しいと言われていています。現在の治療法としては、同種造血幹細胞移植と酵素補充療法がありますけれども、いずれも限界があります。




New England Journal of Medicine に掲載された我々の概念実証試験の中間結果によりますと、全ての患者さんが、生理的、IDUA、酵素活性のレベルを上回り、それにしたがって GAG の濃度も持続的に低下し、治療後の認知能力も安定していたということです。

また、治療を受けた全ての子供たちは、健康な小児を予想される成長パーセンタイルにしたがって成長しています。年齢と性別で調整をした正常範囲と考えられる成長、身長が増加が示されています。

その後の追跡調査において、微細運動能力、および粗大運動能力の全身的な獲得、そして正常範囲内での継続的な成長、骨格の健康状態の改善が観察されています。

最新の結果が発表された 23 年 5 月現在の調査中央値は、追跡の中央値は 3.78 年です。このデータに基づき、OTL-203 の有効性と安全性を、同種造血幹細胞移植による標準治療と比較する登録試験を開始しました。米国と欧州の各地で 40 名の患者さんが登録される予定です。数名は既にランダム化されて治療を開始しています。

## OTL-201 (MPS-III A): A progressive and devastating disease with no approved treatment options

Disease snapshot	Early Neurocognitive Outcomes
<ul style="list-style-type: none"> <li>Sanfilippo syndrome type A; pathogenic variants in <i>SGSH</i> gene</li> <li>Accumulation of substrate heparan sulfate leading to severe CNS degeneration w/ somatic manifestations</li> <li>Severe phenotype development slows from 3 years of age, followed by cognitive decline, behavioural disturbances, loss of skills and eventual death</li> <li>No successful treatment options</li> <li>Incidence: ~1 in 100,000 live births</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Change in cognitive function (age equivalent scores) against natural history of MPS IIIA</li> <li>Change in patient behavior, patient QoL and daily living</li> <li>Early follow-up in trial patients:               <ul style="list-style-type: none"> <li>Gain of skills in line with development of normal children in 4 out of 5 pts.</li> <li>Developmental gains not seen in untreated MPS-III A, e.g. acquisition of speech, continence and complex play</li> <li>Longer follow up ongoing to assess safety and efficacy outcomes</li> </ul> </li> </ul>
	<div style="display: flex; justify-content: space-around;"> <div style="text-align: center;"> <p>Pre-treatment with GT</p>  </div> <div style="text-align: center;"> <p>Post-GT Treatment</p>  </div> </div> <div style="text-align: center; margin-top: 10px;"> <p>Post-GT Treatment</p>  </div>

18 | SD = Standard Deviation; IQ(C) = Intelligence Quotient (Cognition); Engl J Med 2021; 385:1929-1940 DOI: 10.1056/NEJMoaz2106596

また、サンフィリップ症候群 A 型と呼ばれる MPS の別の型に対応するための治療の治験にも取り組んでいます。MPS-III A は、SGSH 遺伝子に変異を持って生まれてきます。ヘパラン硫酸という

糖分子の分解を助けるものです、健康な場合には。しかし、脳や外の組織にヘパラン硫酸が蓄積を  
すると、知的障害や運動機能の低下を引き起こすということになります。

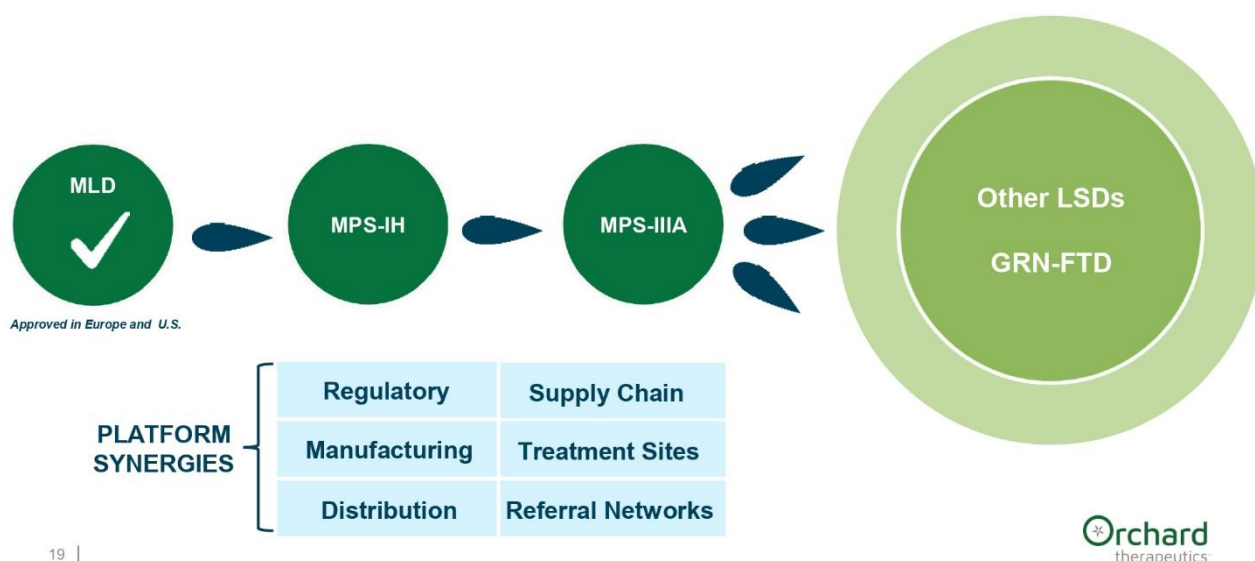
これも非常に大きなメディカルニーズがあります。というのは、同種造血幹細胞移植の治療が有効  
であることが示されていないからです。現在、実証試験、PoC の中間結果では、5 例中 4 例の患者  
が健常時の発育に沿った認知能力を獲得しています。

そして、そのうちの 2 人は、カウフマンスケールという、より高度な認知機能検査に進めることが  
できました。自然経過ではそこまで行くことができません。

また、未治療では見られないような言語、排泄、集中力を必要とする複雑な遊びの習得などの、発  
達上の便益が観察されています。進行中の概念実証試験ですけれども、最低 3 年間追跡される予定  
になっております。その間に、生化学的および臨床的な結果を追加報告予定になっています。

私達のパイプラインは、短期的なデータと転換点、変曲点をもたらすような複数の機会を提供し続  
けています。さらに、パイプラインは全て Lenmeldy と同じ HSC-GT プラットフォームに基づい  
ており、科学、臨床、薬事、商業的な成功を達成するロードマップと共通のインフラとなっていま  
す。

## Success in MLD provides roadmap, common infrastructure for next-in-line neurometabolic and CNS programmes



19 |

短期的に価値を提供し、また長期的な成長を可能にする戦略的な予定について最後にお話をしたい  
と思います。

アメリカでの承認後、協和キリンと協力をして、MLD の地理的拡大計画と、MPS-IH および MPS-III A の承認申請をサポートするデータ生成に取り組んでいます。



## Compelling fundamentals driving near-term value creation and long-term growth



All based on a de-risked HSC GT scientific and clinical platform

20 |



これと並行して、より多くの患者さんを特定し、成功する持続可能な商業モデルを作るために、商業インフラ作りを進めています。

将来的には HSC-GT が、科学的・臨床的に差別化の可能性があると考えられる、より有病率の高い一般的な疾患に対しても適応していきます。

ご清聴ありがとうございました。では、宮本さんの方から、どのように世界をリードする遺伝子治療企業を構築していくのかお話を申し上げます。ありがとうございます。

**宮本\***：ポビーさん、素晴らしいプレゼンありがとうございました。

## Story for Vision 2030

### Life-changingな価値を創出・提供するための戦略



© Kyowa Kirin Co., Ltd.

22

宮本：ではここから、再び私、宮本からお話しします。

改めてこちらのスライドをご提示しました。ただいまご覧いただいたように、Orchard社と、当社の注力する疾患領域を、研究開発から上市までカバーするというものであります。それに加えて、創薬テクノロジーの革新的モダリティへのシフトに深く貢献し、当社の中長期成長にも大きく寄与することを期待しています。



## HSC-GT 今後の計画

### ■ Lenmeldy™/Libmeldy® 欧州・米国での使用拡大

- 2024年3月18日米国承認取得、発売
- 現在、米国・欧州・中東にて、MLDについて10本の前向きNBS\*試験が進行中。2024年3月31日までに約27万5千人の新生児がスクリーニングされた
- 2024年度売上収益予想45億円

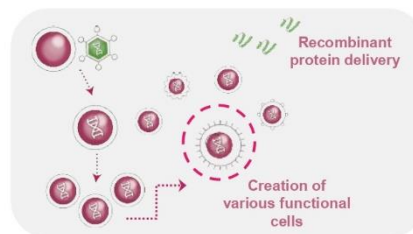
\* Newborn screening, 新生児スクリーニング

### ■ 新たな創薬技術への展開 (例)

- 当社の技術とHSC-GTの融合：通常では送達困難な部位への組換えタンパク質デリバリー
- HSCの多能性を利用した機能性細胞の創出

### ■ 現在の開発パイプラインの着実な進捗

開発コード	開発疾患	ステータス
OTL-203	ムコ多糖症I型 (Hurler症候群)	ピボタル試験進行中
OTL-201	ムコ多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型)	PoC試験進行中 ピボタル試験計画中



## 両社の強みの融合により、Life-changingな価値の継続的な創出を目指す

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

23

最後のスライドになりますけれども、今後の計画をお示ししています。

まずは、Libmeldy、Lenmeldy ですけども、先月 FDA の承認を獲得、承認を得まして、米国での販売を開始するという事になっています。

先ほど、ポビーからも説明ありましたがけれども、現在米国、欧州、中東で MLD に関する 10 本の前向き Newborn screening 試験が進行中でありまして、本年 3 月末までに、約 27 万 5,000 人の新生児がスクリーニングをされています。Libmeldy、Lenmeldy に関しては、今年度は売上収益 45 億円も目標にしています。今後も地域的な拡大を目指して、最適な方法を検討してまいります。

また、現在開発中の OTL-203、OTL-201 につきましても、現在進行中あるいは準備中の臨床試験を着実に推進させます。これによりまして、Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy の可能性をさらに広げていきたいと思っております。

さらに、Orchard 社のこのプラットフォームと、協和キリンの創薬技術を融合させることで、新たな価値提供の実現に向けた取り組みも進めていきたいと思っております。

これはあくまで、現時点での一例でございますけれども、造血幹細胞の多能性というのを利用した、通常で送達困難な部位への Recombinant タンパク質のデリバリーなど、様々な機能性細胞の創出といったような展開を考えています。



このように、両社の強みを融合させることで Life-changing な価値の継続的な創出を目指してまいります。

本日のご説明は以上になります。

## 質疑応答

---

**山口 [Q]**：シティグループ、山口と申します。一つ目の質問です。Orchard Therapeutics の Lenmeldy 含めて、技術が既に実用化されており、非常に効果が高い治療だということがよくわかりました。

ただ、HSC 技術は、Orchard だけがやっていたわけではないというふうに理解しており、Orchard 社の技術が、他の会社の技術や製造とどう違うのかということ、もし特許も含めてご解説いただければ幸いです。それが一つ目の質問です。

**宮本 [M]**：山口さん、ありがとうございます。これはもうボビーに答えていただきたいと思います。ボビーさん、よろしくお願いします。

**ギヤスパ [A]\***：ありがとうございます。まず第 1 に申し上げたいのは、HSC-GT に関しては、それほど多くの企業が行っているわけではないということです。

Bluebird Bio 社というところが、 $\beta$  サラセミア、鎌状赤血球、副腎白質ジストロフィーなどをやっています。それからもう 1 社、Rocket Pharmaceuticals というところもあります。こちらも HSC-GT をやっているわけですが、違う疾患を対象にしています。

したがって、同じテクノロジーと思われるかもしれませんが、我々が取り扱っている適応症が他社とは違うということでもあります。我々は MLD、MPS-I、MPS-III A、そして早期のパイプラインに集中をしています。

なぜかと言いますと、ここに最も大きなアンメットニーズがあると思うからです。そして治療のオプションが他にない考えるからです。

ということで、差別化というのは技術そのものというよりは適応症の違いであると考えておりまして、我々はターゲットを絞って、非常に重要な適応症、アンメットニーズが大きいところをやっております。

それから、関連する特許についてでありますけれども、この技術は長い時間をかけて進展してきました。技術的な特許というものは、特に関係するものはございません。しかし、我々には多くのノウハウがあります。また、希少疾患であるということから、オーファンドラッグの exclusivity を FDA、そして EMA からもらっているということで、それによって exclusive な商業化を、小児の疾患において数年にわたって行うことができるという利点もございます。

また、テクノロジーですとかノウハウですとか、それからインフラですね。こういった治療を開発するための、あるいは臨床試験にかかる時間ということを考えると、競合他社がこういったプログラムを開始するのは非常に困難であると思われます。

Lenmeldy/Libmeldy と同じテクノロジーを使ってプログラムを開始することは難しいと思います。

**山口 [Q]**：パイプラインですけれども、今ある OTL-203、OTL-201 はよくわかりますが、ライソゾーム disease でアンメットメディカルニーズがある病気はまだたくさんあると思います。

もちろんリソースの問題もありますが、今後もこのライソゾーム disease の HSC のパイプラインを拡大するという予定はございますでしょうか。具体的にはどのような病気を、このサンフィリップシンドローム・タイプ A の後は考えておられますか

**宮本 [M]**：山口さん、ありがとうございます。これも、まずはボビーの考えを聞きたいと思います。よろしくをお願いします。

**ギヤスパ [A]\***：ありがとうございます。非常にわくわくするご質問をいただきました。ご想像がつくと思いますけれども、我々としては、真の変革を、この MLD 治療にもたらしたいということで、MPS-I、MPS-III A に関しては、同じ HSC-GT を使って進んできているところであります。

おっしゃる通り、ポテンシャルがあります。他のライソゾーム病にひらいていくということもできるわけです。HSC-GT というのは、中枢系に関しても他の臓器系に関しても、よりユニークな働き方をするからです。

小規模なバイオテックの企業である、リソースも限られているということで、かなりこのプログラムに関しては選択をする必要があります。ということで、この三つのプログラムに今のところは限定をしているわけでありまして、山口様がおっしゃる通り、この三つ以外にも広げていく、他のライソゾーム病に広げていく可能性はあるというふうに思っております。

そして、だからこそ協和キリン、宮本社長が Orchard のポテンシャルを認めてくださったということだと思えます。今あるところ以外にもポテンシャルがたくさんあるということでありまして、これは社内で議論しながら進めていきたいと思えます。将来的にまた新しいニュースを提供できればと思っております。

**宮本 [A]**：私からも少し足しますけれども、ただいまボビーからもご説明しましたように、この治療方法の持っているポテンシャル、非常に大きいと我々も考えておりますので、山口さん、おっし

やっていただいたように、ポテンシャルを見ると、もちろん他のライソゾーム病もターゲットになると思います。

いろいろリストとしては、既に研究者の中には結構なリストができていますので、それを両社の担当者が研究に限らず、デベロップメントですとか、それからコマーシャルサイドの連中も集まって、どれからターゲットにしていこうかという辺りは、協和キリンチーム全体として、プライオリティをつけて、これから迅速に進めていきたいと思っています。

これも昨年の末に、R&D 説明会でもご説明したと思いますけども、これまで我々がやってきた創薬研究に比べると、かなり早く、少なくとも臨床までは動けるテクノロジーだと思っています。この辺速く回しながら、ターゲットをきっちりと決めてやっていきたいというふうに考えています。以上です。

**山口 [M]**：ありがとうございます。以上です。

**村岡 [Q]**：こんにちは。モルガン・スタンレー村岡です。Libmeldy、Lenmeldy のポテンシャルというお話なのですが、以前の昔のスライドで、2.5 ミリオンドルを前提に、500 ミリオンダラーとか、1 ビリオンダラーっていうチャートがあったかと思います。

今回、アメリカでのプライシングは 4.25 ミリオンドルとなったわけで、これは従来よりも、ざっくり 2 倍の単価になるので、期待値は限りなく、2 ビリオンドルに近づいているという解釈をしてよろしいのでしょうか。ちょっとその辺りの解説をいただけると助かります。

**宮本 [A]**：村岡さん、ありがとうございます。また後ほど、ポビーに詳しく解説していただきます。確かに米国の単価はかなり高い方に設定したということですけども。全体の患者の量とか、それから実際に展開できるだろうと予想してるところまで考えると、どれぐらいのことをポビーが今考えてるかという辺りを、彼に説明してもらいたいと思います。

ポビーさん、よろしくお願いします。

**ギヤスパー [A]\***：宮本さん、ありがとうございます。ご質問ありがとうございます。

薬価に関しましては、やはりこの薬の価値に集中をするべきであると思います。MLD に関しましては、これは非常に重症の疾患で、基本的にはこの子供たちというのは、全ての機能を失って、そして最初に生まれてから 10 年、あるいは 20 年以内に亡くなってしまいます。

もう、疾患修飾薬っていうのは、全く今のところありません。そして、この疾患というのは大きな影響を及ぼします。この子供たちだけではなく、家族にもそうです。家族は 24 時間ケアが必要です。



そして、片親は仕事を辞めて、また家も変わって、そしてヘルスケアのシステムも、この経済ということでは、この疾患の負担というものが、これ入院も含めて、随分とかかかってきます。しかし、この遺伝子改変細胞を単回、1回注入をするだけで、これはemotionの面でも、あるいはまた経済の面でも、この負担を和らげることができる。

これは、この子供さんだけではなく、子供さんを取り巻く全てのエコシステムを含めて負担を下げることができる。これがこの価値です。

これとはまた独立して、この薬は独立のNICEであったり、これHTAですけれども、UKの。そういったところで評価されています。そして、Libmeldyに対しましては、他の薬には評価の結果を与えなかったような高い評価を与えています。

それからまた、ICER、これもアメリカの別の評価機関ですけれども、Lenmeldy、アメリカでの名前ですけれども、評価をしまして、そこでやはり薬価を推奨しています。これは価値として、これまでの評価をした医薬品、どれよりも高い価値があるというふうな評価をしています。

3.94 ミリオンというような数字になっている。ですので、これは適応症から、それからまたアンメットニーズが非常に高い。そして治療が全くないというようなこと。そしてこの医薬品の価値というようなことで、全体としてこのような評価をいただいているということになります。

**宮本 [M]**：村岡さんからのご質問は、そこは分かったとして、これからの市場のポテンシャル、全体の大きさとしては、前は単価が2.5 ミリオンで計算してたんだけど、この米国の単価が4.25 ミリオンっていう設定をすると、前言ったよりも市場のポテンシャルは大きく考えていいですかということ。

ポビーさんの希望として、グローバル全体でどれぐらいの大きさの市場を見るかという質問でした。

**ギヤスパー [A]\***：もちろん、疾患にかかっている患者さんを早期に見つけるということが必要です。非常に早期の段階にある疾患の患者さん、治療可能な患者さんを見つけるということ。それからまた、その弟や妹で、まだ症状が出ていない患者さん。そういった人が対象になり得ます。

EU、それからアメリカでの承認状況を見て、今年の想定では、14 の治療ができ、3,500 万米ドルが欧米で治療可能と考えています。しかしながら、今後この認知度が上がってまいります。そしてまた、新生児スクリーニングでも拡大をしてまいります。そうなりますと、売上収益は毎年伸びていくと想定しています。

そして、最終的に新生児スクリーニングに入りますと、40名、アメリカで。これは適格な患者さん。そしてそれから、またヨーロッパでは50名ほどの患者さんが対象になるだろうと思います。

これはEUとアメリカの数字だけを取って、約100名ということになります。それぐらいの患者さんが治療適格ということになります。そしてそうなりますと、平均で300万ドルといたしますと、これは3億ドル、1年当たりということになります。

これがEUとアメリカのみでの計算になります。もちろん、そのインフラの整備も必要ですし、地理的な拡大で他の市場へと拡大していくということも必要です。そうなりますと、さらにもっとポテンシャルとしてはキャプチャーできるということになります。

**宮本 [A]**：グローバルで全部の生まれた赤ちゃんを Newborn screening して、この単価でいけば相当でかくなりますけども、それはなかなかそう簡単に現実にできるものではないということ。

今、ボビーから説明があったように、ヨーロッパとアメリカは少なくともカバーできるようになれば、年間100人ぐらいは、このMLDのお子さんをトリートメントできるんじゃないかっていう見積もりを今してるっていう答えだったと思います。

**村岡 [Q]**：ありがとうございます。ちょっと確認なんですけど、多分宮本社長に確認した方が手取り早いと思うんですけど、ボビーが3ミリオンダラーっておっしゃったのは、多分2.5ミリオンと4.25ミリオンのアベレージをとって、3ミリオンって多分、そうおっしゃってるんですね。

**ギヤスパ [A]\***：そうです。平均の数字です。アメリカの価格と、それからEUの価格の平均でした。

**村岡 [Q]**：わかりました。ありがとうございます。すみません、もう1個だけお願いします。

このMLDの治療、スクリーニングを受けて、その40人、先々40人、50人、年間治療を受けるとして、これだけいい治療法がある中で、実際に的確であっても治療を受けない選択をする患者さんというのは、こういった背景がある患者さんだと、現在考えてらっしゃいますでしょうか。

**宮本 [M]**：村岡さんありがとうございます。これ、ご質問の趣旨は、病気として診断されたとしても、治療を受けない患者さんがいるかというご質問でよろしいですね。

**村岡 [Q]**：そうですね。いるか、もしいるとしたら、例えばどういう患者さんが受けないことになるのかというのが、ちょっとわからないんです。

**宮本 [M]**：ありがとうございます。では、ボビーさん、よろしく申し上げます。

**ギヤスパー [A]\***：現在、適格性の基準ですけれども、これは早期若年型、それから乳児期の後期の患者さんです。早期若年型の場合には、臨床症状を伴う場合になります。ですので、その外の患者さんの場合には、治療を受けるにはもう進行しすぎているということで、そういう意味でも診断が早い診断が必要となります。

これは新生児スクリーニングになってまいりますと、全ての患者さん、そこで同定される患者さんというのは、その出生時にわかるようになりますと、これは適格ということに全てなってくると思います。

今のところシナリオとして、家族がこの治療を受けないというようなシナリオはあり得ないと思っています。と言いますのも、他には疾患修飾薬がないわけです。他の治療で受けられる治療はないんです。ですので、大半の患者さん、あるいはご家族が、この遺伝子治療を受けるということを選ばれると思います。

おそらく、もしかしたら文化的なあるいは個人的な状況から、いくつかの家族でももしかしたら受けられないというような方もいらっしゃるかもしれませんが、これは本当にもしあっても非常にマイノリティだと思います。

ほとんど大半の患者さんは、あるいはまたご家族は、この診断を受けられますと、この生命を救う可能性のある治療を受けられるということなるだろうと思います。

**村岡 [M]**：わかりました。大変クリアでした。ありがとうございます。以上です。

**酒井 [Q]**：UBS の酒井です。二つということなんで、一つ、先ほどから MLD で新生児の検査というお話が出てますけれども、これ、義務づけということと言うと、今どの段階にアメリカとヨーロッパが来ているのかということを知りたい、この点が最初なんです。

それと、これ検査をすれば、その時点で、MLD、将来的に発症するかどうか、これ遺伝子ですから、多分遺伝病ですから、多分かなりの確率で判明するんじゃないかと診断されるんじゃないかと思うんですけれども、そういう理解でよろしいのかどうか。この点、まず教えてください。

**宮本 [M]**：酒井さん、ありがとうございます。これはもうボビーさんに答えていただきましょう。

**ギヤスパー [A]\***：ありがとうございます。新生児スクリーニングに、私は情熱を傾けています。医師としても、Orchard の人間としてもです。全ての患者さんを十分に早く特定して、治療にアクセスしてほしいということです。

新生児スクリーニングには重要な基準があります。治療がない場合にはスクリーニングをしても仕方がないということがまず一つあります。スクリーニングをして特定されても、治療がなければ意

味がないからです。したがって、これまでは新生児スクリーニング、MLD に関しては関心が低かった。なぜかという治療がなかったからです。

しかし、治療が出来上がったということで、医師のコミュニティも、患者のコミュニティも非常に関心が高まっています。ぜひこの新生児スクリーニングを全国パネルに入れたいということであります。ということで、ステークホルダーと今、協力をして進めています。

こちらから情報をサポート・提供して、パイロットスタディを開始しようとしているわけです。2022 年以降、これまで、ですからおよそ 2 年間の間に、複数のパイロットスタディを行いました。そして、27 万 5,000 人以上、ドイツ、ベルギー、イタリア、フランス、その他の国々、アメリカも含めですけれども、スクリーニングしてきました。

そしてこの期間の間に、実は 5 人の MLD が特定されています。27 万 5,000 人をスクリーニングして、5 例が特定されたわけです。そしてこの 5 例のうちの 4 例が、この遺伝子治療を受けた、あるいはそろそろ受けようとしているという状況であります。

ということで、新生児スクリーニングを通じて既に患者さんは特定されているということです。そしておそらく、10 万人に 1 人と言われているわけですが、現在の数字を見る限りでは、5 万人に 1 人のように見えております。もちろんより多くのスクリーニングをしないと具体的な数字はわかりませんが、思ったよりも多そうということなんです。

こういったパイロットスタディからわかってきているのは、各国の当局に働きかけて、全国的にスクリーニングをやってほしいということです。例えばドイツで最大のパイロットが行われました。そこでは、全国的なスクリーニングをやってほしいということで、こちらから申請をしています。

ヨーロッパにおいては、複数の国で、このようなユニバーサルスクリーニングを MLD でやっていくことになるだろうと思います。おそらく、おそらく最初はノルウェーです。ノルウェーで全ての新生児のスクリーニングを、MLD に関してやるということです。

ドイツも関連してくるかもしれません。アメリカはちょっと違います。プロセスがまだ始まったばかりということもあります。承認されたばかりだからです。しかし、RUSP の方にこちらから申請をしていくことになります。連邦レベルでの審議会です。

そしてそこで OK が出れば、全ての州で MLD のスクリーニングが始まるはずなんです。しかし、そこまでいなくても、各州のレベルで法律を制定して、MLD のスクリーニングをすることは許されています。



例えば、イリノイ州では既に、州レベルでの法律というものがありますので、これは KOL とかが働きかけたんですけれども、MLD のスクリーニングが行われていくということになっています。イリノイですけれども、年末までには新生児がスクリーニングされると思われます。

また、州レベルのパイロットプログラムも行われています。ということで、RUSP の推奨がなくても、いくつかの州において、既にスクリーニングができるようになっていくという状況です。それが現状です。

もちろん、時間がかかりますけれども、今非常に勢いがあります。スクリーニングをぜひ、MLD に関して、ヨーロッパでもアメリカでも確立したいという動きがあります。

そして、二つ目のご質問ですけれども、どのようなテストなのかということだと思いますが、いくつかの階層があります。まずは、スルファチドが上がってるかどうかを測定していく。そして中間レベルとして、酵素活性を見ていくということです。これは MS（質量分析）で行います。

そして確定診断をするためには遺伝子の検査をすることが必要です。ということで、通常、最初の検査に関しては、数日間で結果が出ると。そして、数週間かけて確定診断が出てくるといったところになります。

**酒井 [Q]**：そのフォローアップなんですけど、もう一つの質問は、そうすると、おっしゃってた US で 40 人、それから EU で 50 人の Newborn Baby の患者が毎年ですかね、これは、生まれるという話ですが、この検査が普及・浸透することによって、この数っていうのはやっぱり増えていく方向なのか。

この 40、50 っていう前提は、どういう前提から引き出されたのか。ちょっともう一度この辺を確認させてください。これが二つ目の質問です。

**宮本 [M]**：酒井さん、ありがとうございます。これもボビーに答えてもらいましょう。

**ギヤスパー [A]\***：この数字は、どれくらい有病率がある、というところから来ています。これまでは過去の文献を見てきました。そうしますと、MLD の発生率として、大体、5 万人から 25 万人に 1 人というばらつきがあります。全てこれは後ろ向きであり、違う国の試験です。

ということで、その間を取って、10 万人という数字を使っているわけです。基本的にこれが中央値ということになります。

さて、10 万人に 1 人ということになると、大体 400 万人が新生児の数です、アメリカでは。ということでそれで計算をすると、1 年当たり、MLD は 40 例ということになります。そして同様に、

EUにおいては500万から600万ぐらいの新生児が毎年生まれていると言われてますので、それを10万分の1で計算をすると50人ということです。

さて、この新生児スクリーニングをやってみたところ、もしかしたらもっと多いかもしれないということがわかってきています。27万5,000人をスクリーニングして、5例が見つかったわけですから。

ということで、今の計算は10万人に1人をベースにしていますけれども、もし実際スクリーニングしてもっと多ければ、これよりも数字が大きくなる可能性はあります。

そしてこれは、年間の数字です。1年間に生まれる新生児をもとに計算をしております。毎年、毎年この人数が診断されるだろうという予測です。

**若尾 [Q]**：JP モルガンの若尾です。私も同じようなことを聞いてしまうんですけど。

まず今のお話を伺いますと、最終的にはというか、安定してくればEUは50名で、米国は40名の患者さんが毎年だと思いますが、見込めるということだと思います。

一方で、今年度、足元を見たときに、米国の市場浸透に関しては、緩やかに立ち上がっていくように想定しておいた方がよろしいでしょうか。既に欧州で承認されていたことから、USにおいては、早いペネトレーションを期待していたのですが、今のお話を聞きますと、やはりスクリーニングにそれなりに時間がかかりそうなので、初年度からそれなりの売上規模を見込むのはちょっと難しいなと思ったのですが、そういう考え方でよろしいでしょうか。

数字自体は会社計画の通りだと思いますが、この辺り、ちょっと教えていただけますと助かります。

**宮本 [M]**：若尾さん、ありがとうございます。USの方が、ヨーロッパの状況も見ているので、市場浸透のスピードが少し早いのかなと予想したけれども、やっぱりスクリーニングがポイントだとすると、そのスピードってそんなにヨーロッパに比べて早いというわけではないのかというご質問かと思います。

これもボビーさんに答えてもらいたいと思います。

**ギヤスパー [A]\***：そうですね、おっしゃる通りだと思います。ゆっくりと増えていく形になると思います。

と言いますのも、今のところ、普遍的なスクリーニングというのはありません、まだ。パイロットでやっているだけです。ですので、今は患者さんを見つけるには、二つのルートに依存しています。

一つは、小児で早期段階の MLD の症状が出始めた患者さん、これを医師が見つけるということ。これはかなり早い段階で見つかる必要があります。非常に希少疾患ですが、この疾患を早く見つけるということが必要です。希少疾患ですから、医師がよくこのような患者さんに合うわけがありませんが、早期発見が鍵です。

それからもう一つ、既に診断をされている場合で、残念ながら治療にはもう遅いというような場合に、そのご家族のスクリーニングをします。弟さんや妹さんに、もしかしたら MLD 患者さんがいないかというスクリーニングです。

ということで、既に症状があるような患者さんをまず見つけるという二つのルーツが、今もっぱらのその患者さんを見つける経路になっています。

ですので、その最初の時期におきましては、まだ新生児スクリーニングがないという状況により、我々が期待する最大の数字よりはかなり低い数字になると思います。しかし、我々の活動は継続しています。

今、かなり MLD の患者さん、そのコミュニティにおける認知度というのは上がってきています。新生児スクリーニングには時間かかると思います。しかし、他の病気のスクリーニングなんかも経験しておりますけれども、例えばヨーロッパでは、一旦ドイツのような大きな国でスクリーニングを始めますと、他の国でもスクリーニングを始めます。かなり急速に広がります。

アメリカの場合には、RUSP よりも前に、州によってはスクリーニングを始められるところもあります。一旦、RUSP の申請がうまく通りますと、今度は、連邦政府のパネルの方にのります。そうすると、もう全ての州が相対的には迅速にリストに入れるとことになります。

ですから、すぐというわけにはいきませんが、何年かはかかりますけれども、アメリカでも、またヨーロッパの各国レベルでも増えていくだろうと思います。そして、結果的にはできる限り最大限の数を見つけることができるようになるだろうと思います。

**若尾 [Q]**：二つ目は、パイプライン、今後の開発という観点で教えていただきたいのですが。

今回のご説明を伺いますと、これまで Orchard が研究開発をしてきた延長線上のものになるのかなという印象を持ちました。

ライソゾーム病の次のものっていうのは、まずは検討していくのかなということはよくわかりました。一方で、御社が、協和キリンとの技術の融合で生まれてくるものというのが、今回のプレゼン資料に少し書いてはあるものの、具体的な内容があまり見えません。もう少し疾患であったりとかヒントをいただけないでしょうか。

あと、このプラットフォーム技術というのは、基本的には新生児向けになるのでしょうか。造血幹細胞移植という観点で考えますと、成人にも使えなくはないのかなと思ったのですが、いかがでしょうか。

**宮本 [A]**：若尾さん、ありがとうございます。これは私からお答えします。

このスライドにもありますように、我々いろいろなアイデアを今持っていますので、いろんなことを考えています。具体的にはちょっと勘弁していただきたいですけども、通常では送達困難な部位へのタンパクのデリバリーなどは、具体例のところを書いてあります。

それから、今日の説明にもありました通りで、Hematopoietic Stem Cell っていうのは、いろんな細胞に分化する機能を持っていますので、それに対して、外からの遺伝子を入れられるっていう技術でございますから、いろんなことが考えられます。実は Orchard 社との最初のコンタクトは、研究側から、我々の持っているアイデアを、ぜひ Orchard のプラットフォームでやってみたいという、研究サイドからの要望もあったということもあります。

なので、具体的なところはここまで勘弁していただきたいですけども、おっしゃる通りで、別に病気によっては Newborn に限らないので、大人になってから発症する病気もありますし、遺伝子の変異が元々その遺伝病として持っている病気に限った話でもありません。いろんなことが考えられるなというふうに思っています。

その辺のアイデアは今、かなりありますので、複数机の上に並べて、Orchard の研究陣と我々の研究陣、それからさっきもご説明した通りで、マーケットサイドとかからも見て、どこに我々がプライオリティを持って取り組むべきかという辺りを今、順番づけをして、それを割と早めにどんどん回していきたいというふうに考えているということでございます。以上です。

**若尾 [Q]**：ありがとうございます。割と早めっていうのは、これはいつ。

**宮本 [A]**：すみません、言い方がちょっとよくなかったかもしれませんが。さっき申し上げた通りで、従来の低分子だとか抗体、モノクローナル抗体なんかは、disease target をこれにしようとして決めてから、まずその target molecule はこれで、それに対しての、例えばアゴニスト、アンタゴニストとか、キャプチャーする抗体っていうのを作って。それが本当に安全性がどうだとか、それ

からもし抗体だと、その先まだ、じゃあ本当にこの抗体でいいのか、他の抗体なのか、セルラインはどうだっているいろいろ検討しなきゃいけないんです。

その過程が、この技術はかなり短くできるというふうに考えていますので、go or no-go、やめる、次のものに変えようという判断が早くできるんじゃないかなというふうに考えているということですね。

**若尾 [M]**：わかりました。ありがとうございます。

**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。私からもパイプラインのところで、まず、OTL-201、サンフィリップのところですが、2月の学会でも、バイオマーカーで良好な結果を出していたと思います。これは今、経過観察をされてるってことだと思うんですが、いつピボタル試験に進んでいくのか。これ、見通しあれば、まずお伺いしたかったです。

**宮本 [M]**：都築さん、ありがとうございます。これはボビーさんからご説明をお願いします。

**ギヤスパー [A]\***：ありがとうございます。非常にエキサイティングな結果が、201の試験からは出ておまして、おそらくこれは2月の終わりのシンポジウムの話をしてるんだと思います。そこで発表させていただきました。

そして非常に強い関心があります。5例、全員が正常な発育であるということであります。つまり、年齢的に通常であれば自然経過であると、どんどん能力が落ちていくようなタイミングで落ちていないということです、これは本当にエキサイティングなことですよ。

このような結果が出たのは、MPS-III Aでは初めてです。認知機能のみではなく、行動ですとか、排泄ですとか、そして複雑なスキルの習得ですとか、そういったことですね。これが習得できるとより難しい行動の評価もできるようになっていくわけです。

ということで、PoCのコンセプトとしてはできたので、次はピボタルスタディということになるわけですが、これは当局と治験のデザインについて相談しなければいけない。そして、製造上の変更も必要であります。

今はこれは医師主導ですので、ベクターに関しても製品に関しても、これが学術的なセンターの方で使われている。これを商業的な施設に移さなければいけないということで、それが少し時間がかかります。

アカデミアの製造施設から、商業的な施設へと移管をしなければいけないわけです。ということで、それが2点、重要な点です。商業的な施設に移管するということと、それから当局とのやり取りをして、適切なピボタルスタディの設計を考えていくということです。



**都築 [Q]**：ありがとうございます。あともう1点ですけど、クローン病とかの話が、御社の Orchard 社のときのプレゼンテーション資料には書かれてたと思います。このクローン病などに踏み込む可能性だとか、ここに踏み込むというよりは、先ほどお話しいただいた協和キリンさんとのシナジーのところの部分を進めるのか。

この辺りは、クローン病に踏み込む可能性があるのか。クローン病に踏み込むというよりは、協和キリンさんとの別のターゲット、新しいモダリティ開発とかに結構注力されるのか。この考え方を少し整理して教えてほしいです。

**宮本 [A]**：ありがとうございます。宮本からちょっとカバーしますが、これクローン病といっても、クローン病の中でも、この治療でトリートメントができるタイプのクローン病っていうのを狙うっていう意味だとは思いますが。

この辺、先ほどご説明した通りで、いろんなアイデアが今ありますので、その辺をディスカッションして、どれにプライオリティをもってやるかということを決めていくということです。

なので、当然可能性はありますし、他のものを優先するってこともあり得るということで、現状はまだどうとも申し上げられないという状況であります。

**都築 [M]**：わかりました。ありがとうございました。

**春田 [Q]**：UBS 証券の春田と申します。1点だけですけど、ムコ多糖症、酵素補充療法が主力かと思いますが、このハーラー症候群もサンフィリップ症候群も、一応、血液脳関門を通過できるような酵素補充療法も開発されてるかと思います。

その中で、この御社のこの造血幹細胞の遺伝子治療を先に使うじゃないですけど、先に最初に選択されるにはどういったポイントを訴求するのかっていう考え方について教えていただければと思います。

MLD は他の治療法がなかったので、選択、最初にされるのかなって思うんですけど、他の選択肢があった場合の訴求ポイントについて教えてください。

**宮本 [A]**：春田さん、ありがとうございます。これも後でボビーさんにカバーしてもらいますが、基本的にやっぱり酵素補充療法の効果、それから、酵素補充療法だと、ずっとやっぱ酵素を補充し続けなければならないので、その辺は、これ1回のトリートメントで済むよということはもちろんありますので、その辺の比較になるかなと思います。

この辺について、ボビーさんよろしくお願いします。

**ギヤスパー [A]\***：ご質問ありがとうございます。やはり臨床上のニーズというところが重要です。ERT、酵素補充療法はあるんですが、しかし、それでもまだまだいろんな制約があります。宮本さんの方からもお話ありましたように、定期的に補充が必要です。

また、根本治療となる可能性もありませんし、他にも制約があります。ERTが長年使われると、認知の障害とも関連してくる。うまくBBBを通過しないためです。あるいはまた、それ以外の問題もある。

だから、完全にこの病気の状態が是正できるわけではない。あるいはまた、MPS-III、ハンターシンドロームの場合も同じです。これによって完全に、この認知、あるいは機能障害というのが完全に是正されるわけではない。

あるいは、ポンペ病でもかなりの異常が見られます。HSC-GTの場合には、この遺伝子改変細胞が、実際に血液脳関門を通過して、脳に入る、また骨にも入る、また臓器にも入る、肝臓にも入る、そして生理的なレベル以上のものが入っていく。

それによって、完全にその標的細胞を是正する。そして、臨床的な表現型を是正するというのですから、MPS-Iというのが一番いい例だと思います。これまで治療をした患者さん、まだ3年半ほどの平均治療期間ですけれども、全く認知機能低下はありませんし、これはもう全くそういったことは標準治療で見られなくてです。

それから、骨格の成長も正常成長、また長期的な成長も正常です。そして全くその異常が見られていない。その遺伝子治療においては完全に是正されている。ですから、これやはり遺伝子改変の幹細胞の、これはやはり非常に特徴的なところだと思います。

全く疾患の自然転帰、経過をたどるようなことがない。そして、ローカルに、局所的に必要な細胞、標的細胞をそこで遺伝子改変細胞が入ることによって、機能をまたよみがえらせることができるという、そこが大きなポイントだと思います。

**春田 [M]**：承知しました。ありがとうございます。

**橋口 [Q]**：大和証券の橋口と申します。効果の持続性については、どのようにお考えでしょうか。単回投与ということですが、現状データはないのかもしれませんが、これまでの研究の成果をもとに、どのように推定されているのかお考えをお聞かせいただければと思います。

また、いずれ効果が弱まっていく、消失していった場合に、再投与はどなたでもできるのか。できる人とできない人がいるのか、あるいはどなたでもできないのか。それについてもどのようなお考えかというのを聞かせいただければと思います。

**宮本 [M]**：橋口さん、ありがとうございます。これもボビーさんに答えてもらいたいと思います。

**ギヤスパー [A]\***：ありがとうございます。喜んでお答えしたいと思います。

私、元々医者でありまして、この領域で30年間仕事をしてきました。対象の患者さんの治療、2001年の頃です。もう20年前の話です。遺伝子異常がある男の子ですけれども、この20年で、この遺伝子治療を受けて完全に状況が修復されているということです。

これはつまり、このスライドの説明に起因します。HSC、遺伝子改変細胞というのは、自己再生できます。一旦患者さんの体内で生着しますと、どんどん複製をしていくわけです。そうすると、遺伝子改変された細胞が体内でどんどん増えていくということで、それは一生そこに存在することになります。という可能性があります。

MLDの場合ですけれども、12年前に治療された患者さんで、全く効果の減少が認められていません。そして他のHSC-GT、他の免疫関係の疾病などに関しても、10年以上前に治療されて、そして免疫系が是正されて、骨髄でも今、まだその効果が続いていると。効果は減却していないということです。

もちろん、フォローアップをしているわけではないので、データはありませんけれども、病気が修正されて10年以上経っているという患者さんが何人もいますので、おそらくこれは一生続くのではないかという推定ができると思います。

というのは、遺伝子改変細胞が生着するからです。まだ、そこまで長いフォローアップできていないだけの話だと思います。

それからもう一つですけれども、アロの移植の場合ですと、これは同種ということですので、他の人の細胞を患者さんに移植します。そして、同種移植に関しては、60年代の終わりから70年代の初めぐらいに行われました。そしてそこに関してはデータがありまして、骨髄移植を受けて50年経ってのデータというのがあります。ということで、こういったデータから言えるのは、推定できるのは、1回の治療で、可能性としては一生効果が続くのではないかということです。

**橋口 [M]**：ありがとうございました。以上です。

**山口 [Q]**：すみません、2回目ですが。ありがとうございます。

スクリーニングに関していくつかお話が出た中で、最初にご説明いただいた、コニーとジョーの話が非常にわかりやすかったです。スクリーニングがない状態ですと、やはり、この患者さんが進んでいて、見つかったんだけど治療できない。しかしながら、家族でプレシンプトマティックな患者に

は治療できるっていう、もう一つのケースもあったと思うんですけど。こういったケースがやっぱり多いんでしょうか。

それとも、たまたまそうであって、見つかって最初から治療できるようなケース、スクリーニングがない状態でもあるんでしょうか。その辺について、スクリーニングがない状態でどのように患者が見つかるのかっていうことをちょっと教えてください。

**宮本 [M]**：山口さん、ありがとうございます。これ先ほど、ポビーからも若干説明があったと思いますがけれども、2パターンあるよねということだったと思います。この辺もうちょっと詳しくポビーから説明してもらいたいと思います。

**山口 [M]**：ありがとうございます。

**ギヤスパ [A]\***：ありがとうございます。ちょっといろんな形で患者さんが見つかるというような形、ご説明したいと思います。

まず最初に、患者さんで、ある症状が出るとします。例えば、つまずいたりし始める。両親の方で、どうも言葉がおかしいと思う、あるいは何か関連するような異常を感じると。それで医師のところに診察を受けます。

そうすると、例えばMLDのことを考えて、そこで診断をします。これが十分に早ければ、疾患のコースの中で十分に早ければ、この治療適格の患者さんとなります。毎年、患者さんでそのような形でピックアップされる患者さんがいらっしゃいます。これは早い段階で症状があって、しかし見つかったという患者さんです。この場合には医師が見て、そして、それをMLDと結びつけて、必要な検査を行い、MLDと同定をした。そしてそれを治療のために紹介をしたというようなケースです。

それから二つ目の種類の場合ですけれども、この場合にはもう遅すぎるということではあるんですが、MLDが進んでしまっている。医師はその家族のより小さな弟や妹を検査をします。ですから、その患者さんがいたという場合に、今、治療がありますので、MLDの患者さんがいた場合に、その患者さんにはもう治療が遅すぎるといたしましても、そのより小さな弟、妹を検査する。MLDがないかということを見つける。で、見つければ、治療のベネフィットがあり得ると。これが、コニーとジョーのケースです。毎年、やはりそのような形で診断される患者さんがいます。

それから三つ目のグループは、新生児のスクリーニングから見つかる患者さんです。これは新生児として見つかるという場合です。ですから、これが三つのグループということになりますけれど

も、形式的にはおそらくこの新生児スクリーニングで見つかるという人たちが大半になると思われると思います。

**山口 [Q]**：今の現状では、3の話はわかったんですけど、1と2の比率ってどんな感じでしょうか。

**ギヤスパー [A]\***：大体同等だと思います。今のところ。

**若尾 [Q]**：すみません、JP モルガンの若尾です。一つだけ追加させてください。

MLD に関しては、症状が出る前に早期に診断して投与していった方がいいということがよくわかりました。なので、進行していると、あまり治療効果が期待できないってことがよくわかったんですけど、203と201、ハーラー症候群とサンフィリップ症候群に関してはいかがでしょうか。こちらに関しても、ある一定の時期までにこちらの治療をやらないと、有効性は見込めないのでしょうか。

もしくは、その酵素補充療法を既にやっていらっしゃる患者さんもスイッチして、こちらの203および201を投与できるようなものなののでしょうか。

**宮本 [M]**：ご質問ありがとうございます。これもボビーさん、よろしく申し上げます。

**ギヤスパー [A]\***：203、MPS-Iの方ですが、こちらはMLDよりも診断が比較的楽です。というのは、特有顔貌というものがあるからです。それを医師が認識します。また、既に新生児スクリーニングが部分的にMPS-Iについて行われていますので、RUSPパネルにもアメリカではのっています。30以上の州で既に、スクリーニングをMPS-Iに関して行っている。ヨーロッパにおいてのイニシアチブがあるということでもありますので、より頻繁に、またよりよく診断されています。

PoCのスタディにおいて、8例中7例が、当時既にERTの治療を受けていました。ということで、ERTですっと安定した治療を受けていて、そして一部症状があった、ERTをやめて遺伝子治療を行った。そして全員、ERTに戻る必要がなかったということです。

こちらの写真ですけれども、男の子、遺伝子治療の前ですが、背中が丸まっているのがわかると思います。猫背になってしまっています。しかし遺伝子治療を受けると、この背中がまっすぐになったというようです。

というのは、ERTでは骨格の問題には対応できなかった。しかしERTをやめて、遺伝子治療にしたところ、骨のリモデリングが起きて、遺伝子治療のおかげでこのように背筋が伸びたということです。したがって、ERTから切り替えることは可能であります。



MPS-IIIA の方ですけれども、こちらは ERT がありません。MPS-IIIA というのはやはり、診断を早期にすることが重要です。新生児スクリーニングの試みも今始めております。

**若尾 [M]**：よくわかりました。ありがとうございます。

**酒井 [Q]**：すみません、同じ会社から 2 人で、いくつも質問して。一つだけ宮本社長にお聞きしたいんですけれども。

今日のご説明、この Orchard、聞く限りは、かなりテクノロジー的にも非常に斬新な会社であり、御社の企業価値に貢献するんじゃないかなという期待を持つ一方で、今後この Orchard のアセットをどのように協和キリンという会社の中で運営していかれるおつもりなのか。

IR の方にお聞きすると、少なくとも Orchard 単体での業績は今後開示できないというようなお話も聞いてますし、R&D の融合っていうお話ありましたけれども。これ、協和キリンの R&D に融合すると、逆にちょっと価値が落ちるんじゃないのかな、なんていう心配もしてしまうんです。

価値が落ちるってのは、transparency、透明性という意味です。その辺をいかに避けるって言いますか、ご説明を、これからまた経営されていくのか、ちょっとその辺の方針をぜひお聞きしたいんですけれども、よろしくお願いします。

**宮本 [A]**：酒井さん、ありがとうございます。まず、一番我々も大事だなと思ってるのは、先ほどボビーからもちょっと説明ありましたけど、テクノロジー、プラットフォームって私、盛んに申し上げてますが、やっぱ研究から患者さんにお届けするところまでですので、患者さん、それから KOL の先生方との関係性も含めて、今、Orchard が持ってる全体が非常に大事だと思っ

て。私どもとしても、それを支えてるのは人ですから、リテンションは極めて大事だと考えていますので。いかにこの Orchard の皆さんと一緒に我々ができるか。Orchard の今のプラットフォームを維持ではなくてより発展させながら一緒にできるかということが基本的な考え方です。

それで、これは私の方からも説明しましたけど、今、アイデアは結構いっぱいあるということで、それを研究サイド、それから当然 CMC サイド、もしくはより周りを支える PV ですとか QA ですとか、そういったところも今後それぞれの融合を進めていくことになりますので、なかなかやっぱり分離して業績をお出しするってことはできなくなるんだろうなと思ってます。

とはいえ、これも説明した通りで、アイデアから実際に臨床までの期間というのはかなり短くできるだろうということにも、我々価値を感じてますので、この辺は当然臨床に入る、もしくは非常

に近くなれば皆さんに、こういうプログラムを進めますよということは、早期にお伝えできるというふうに思っていますので。

この辺は、今まで我々が今新しい技術があるんですけど、もうちょっと待ってくださいね、具体的なご説明するまでは、みたいなのところの時間は極めて短くできるかなと思っていますので、その辺もご期待いただければというふうに考えてます。お答えになってるとありがたいんですけど。

**酒井 [Q]**：期待してくれってということだと思うんですが、ボビー・ギャスパーさんは、Orchard の経営にもこれから携わっていくっていうか、当然ポートフォリオの運営にも、また協和キリンの方にも関与していくのか、この辺の位置づけはいかがですか。

**宮本 [A]**：はい、おっしゃる通りで、まず、Orchard 単体としてのレポートラインは、ボビーから私に直接になっています。それから、先ほど申し上げた、これから我々が考えてるアイデアと、Orchard 社が持ってるアイデアみたいなのを机の上に並べて、どれを先にやろうかみたいな議論を進めていますし、進めていきますけど、そこのときに極めて重要なメンバーとして、それはボビーが当然入ってもらうことになっていますので。

Orchard の経営っていう意味での役割と、それから協和キリン全体の R&D の活性化も、チームの一員として入ってもらうということで考えます。

**酒井 [M]**：ありがとうございます。

**司会 [M]**：以上をもちまして、Orchard 社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たします。

以上