

# Orchard Therapeutics社株式取得に 向けた契約の締結

協和キリン株式会社



**KYOWA KIRIN**

本資料には、当社（国内外の連結子会社を含む）の見通し、目標、計画など、将来に関する記述が含まれています。これら将来に関する記述は、当社が現時点において入手している情報や予測をもとになされた当社の合理的な判断に基づくものですが、実質的にこれら記述とは大きく異なる結果を招く不確実性を含んでいます。

これら不確実性には、国内外製薬業界の事業活動に潜在するリスク、知的財産権にかかるリスク、副作用に関するリスク、法的規制リスク、製品の欠陥等の発生リスク、原燃料価格の変動リスク、製品市況価格の変動リスク、為替・金融市場の変動リスクなどが含まれますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は、投資家の皆様に向けて情報を提供することを目的としたものであり、内容には医薬品（開発中の製品を含む）に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告や医学的アドバイスを目的としているものではありません。

# アジェンダ

## Orchard Therapeutics社株式取得に向けた契約の締結

取締役専務執行役員 Chief Medical Officer 山下 武美

## Q&A

取締役専務執行役員 Chief Medical Officer 山下 武美  
常務執行役員 財務経理部長 川口 元彦

# 本取引の概要

| 項目        | 概要                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
|-----------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 対象会社      | <ul style="list-style-type: none"> <li>■ Orchard Therapeutics plc（ロンドン）</li> <li>— NASDAQ上場</li> </ul>                                                                                                                                                                              |
| 買収価格*     | <ul style="list-style-type: none"> <li>■ 1ADS当たり16.00米ドル／約387.4百万米ドル（約573億円）</li> <li>— Orchard株主は追加の成功対価受領権（contingent value rights、「CVR」）をADS当たり1.00ドル保有する契約</li> <li>— FDAによるOTL-200のUS販売承認が得られた場合、CVR契約に基づき追加で1ADS当たり1.00米ドルを支払い、合計17.00米ドル／合計約477.6百万米ドル（約707億円）となる</li> </ul> |
| 資金調達方法    | <ul style="list-style-type: none"> <li>■ 手元現金にて充当</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                        |
| 財務影響      | <ul style="list-style-type: none"> <li>■ のれんおよび無形固定資産等、詳細が確定次第公表予定</li> </ul>                                                                                                                                                                                                       |
| 買収方法とプロセス | <ul style="list-style-type: none"> <li>■ スキーム・オブ・アレンジメント（SoA）</li> <li>— Orchard社株主総会、英国裁判所及び規制当局による承認が必要</li> <li>— SoA実行により2024年第1四半期にクロージング予定</li> </ul>                                                                                                                         |

\* Orchard社の全発行済普通株式、ADSの買付け、オプション、Restricted Stock Unit等その他証券に関する支払いを行うために要する金額。

# 本取引（買収）の戦略的意義

## 2030年に向けた新ビジョン

協和キリンは、イノベーションへの情熱と  
多様な個性が輝くチームの力で、  
日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして  
病気と向き合う人々に笑顔をもたらす

Life-changingな価値\*の  
継続的な創出を実現します。

\*病気と向き合う人々の満たされていない医療ニーズを見出し、その課題を解決するための新たな薬やサービスを想像し、提供することで、患者さんが「生活が劇的に良くなった」と感じ笑顔になること

## 当社が考える本買収の意義:

- いまだ治療法が存在しない、高いUMNs\*が存在する疾患に対応するパイプラインの強化
- 将来のUMNsに対応可能な、細胞遺伝子治療研究に関するケイパビリティの獲得

\* Unmet medical needs

- ・ クリースビータ、ポテリジオに続く、日本発のグローバル・スペシャリティファーマとしての事業の強化
- ・ 当社のバイオ医薬品に対する強みとの組合せによる、将来のUMNsへの対応力の増強
- ・ 医薬品を超えた価値・患者さんに寄り添った治療法の提供への足掛かり

# Orchard Therapeutics 概要

## Orchard Therapeutics plc

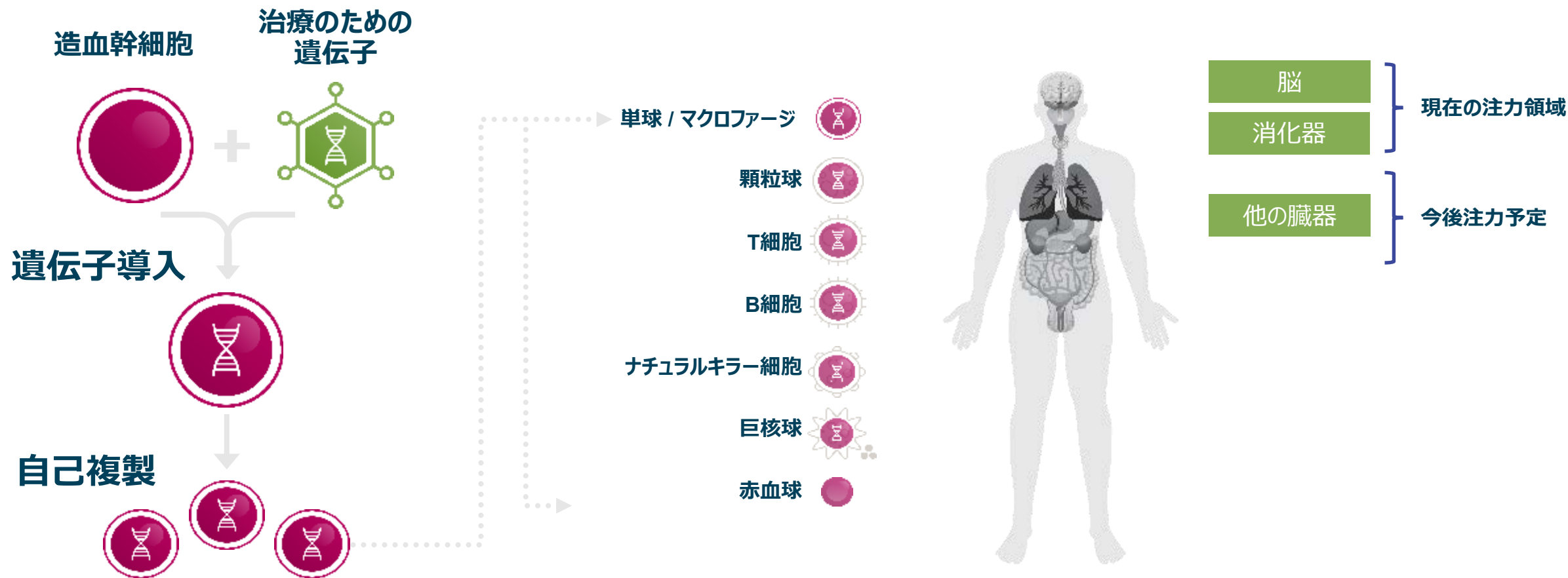
|         |                                         |
|---------|-----------------------------------------|
| 事業拠点所在地 | 英国（本社）、米国、オランダ、フランス、イタリア、ドイツ、スイス、スウェーデン |
| 事業内容    | 造血幹細胞遺伝子治療（HSC-GT）を専門とするバイオ医薬品の開発・商業化   |
| 従業員数    | 166名 (2022年12月時点)                       |

## 上市品 & 開発パイプライン

| 開発コード（商品名）             | 対象疾患                 | ステージ                | 次のイベント    | 想定時期             |
|------------------------|----------------------|---------------------|-----------|------------------|
| OTL-200<br>(Libmeldy®) | 異染性白質ジストロフィー（MLD）    | 欧州上市済み<br>米国FDA申請済み | FDA審査結果判明 | PDUFA 2024年3月18日 |
| OTL-203                | ムコ多糖症I型<br>(ハーラー症候群) | Ph1/2               | ピボタル試験開始  | Q4 2023          |
| OTL-201                | ムコ多糖症IIIA型           | Ph1/2               | データリードアウト | Q1 2024          |

# 造血幹細胞遺伝子治療（HSC-GT\*）とは - 1

\*Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy



HSC-GTにより、体内のあらゆる箇所に遺伝子を送達することが可能

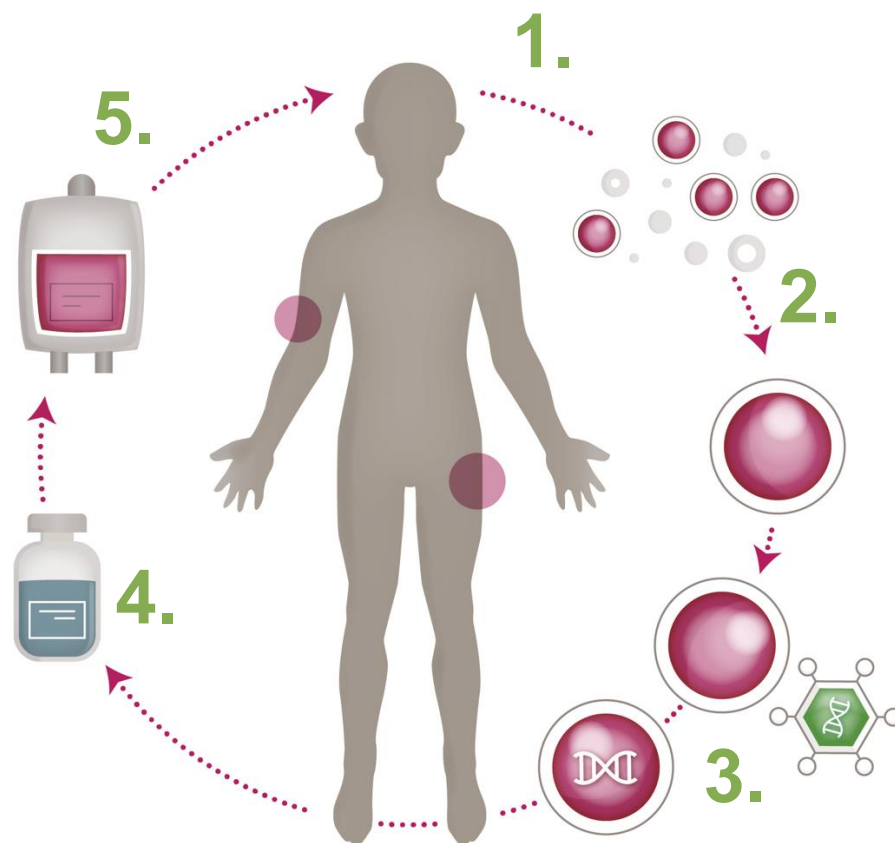
Literature references: Alessia Capotondo, Rita Milazzo, Letterio Salvatore Politi, Angelo Quattrini, Alessio Palini, Tiziana Plati, Stefania Merella, Alessandro Nonis, Clelia di Serio, Eugenio Montini, Luigi Naldini, and Alessandra Biffi, PNAS September 11, 2012 109 (37) 15018-15023; <https://doi.org/10.1073/pnas.1205858109>; Tissue macrophages: heterogeneity and functions, Simon Gordon and Annette Plüddemann, BMC Biology 2017 15:53, 29 June 2017

# 造血幹細胞遺伝子治療（HSC-GT\*）とは - 2

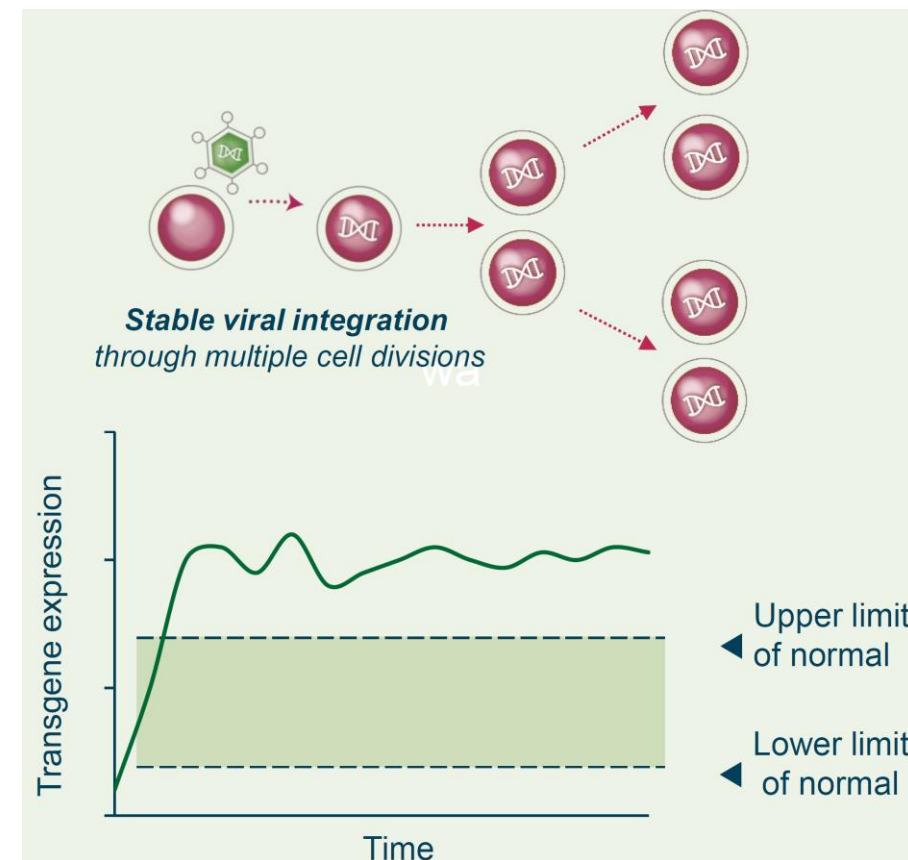
\*Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy

## ■ 治療プロセス

1. 患者さんから細胞を採取
2. 造血幹細胞を選抜し精製
3. 遺伝子を組み込んだレンチウイルスを用いてHSCに遺伝子を導入  
遺伝子導入された細胞は凍結保存
4. 患者さんは治療を受けるための事前措置（コンディショニング）を受ける
5. 遺伝子が導入されたHSCを患者さんに戻す



## ■ 効果の持続性



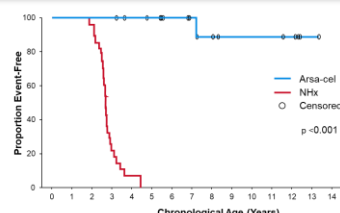
“One treatment in life”への期待



- 致死性の遺伝性中枢神経系疾患
- 運動機能と認知機能が急速かつ不可逆的に失われる
- 重篤例では発症から5年で死亡<sup>1</sup>

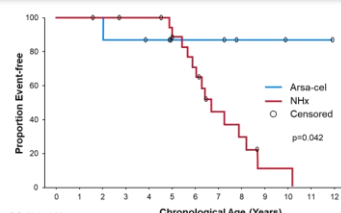
**Interval from birth to first occurrence GMFC-MLD  $\geq 5$   
(no locomotion and unable to sit) or death**

### Pre-Symptomatic Late Infantile (PSLI)



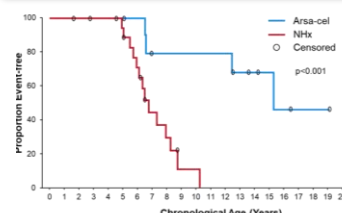
|         |      |
|---------|------|
| OTL-200 | 100% |
| NHx     | 0%   |

### Pre-Symptomatic Early Juvenile (PSEJ)



|       |
|-------|
| 87.5% |
| 11.2% |

### Early-Symptomatic Early Juvenile (ESEJ)



|       |
|-------|
| 80%   |
| 11.2% |

**Ref.) Orchard Therapeutics plc, Q2 2023 Financial Results and Webcast**  
<https://ir.orchard-tx.com/static-files/9fed8b65-2fd9-491a-97c0-69bf6595c0c3>

**Incidence of  
1:100,000<sup>1</sup>**  
*U.S. and EU only  
(using estimate  
of 20 patients)*

\$250.0M

**Incidence of  
1:100,000<sup>1</sup>**  
*Global (using estimate  
of 200 patients)*

\$500.00

**Incidence of 1:50,000<sup>2</sup>**  
*Global (using estimate of 400 patients)*



**\$1B**

Potential annual market opportunity for Libmeldy across all patient segments assuming an average per patient net price of \$2.5M and universal newborn screening<sup>3</sup>

1. van Pijpe K, Jansen J. *Metatranscript: Metatranscriptology*. In: Surver CR, Valle D, WGS 3, eds. *The metabolic and molecular bases of inherited diseases*. Mac: Elsevier, 2007:3899-3924. chap. 34.



- 患者さん1人当たりの平均薬価が250万ドル
  - 想定する全ての新生児にスクリーニングが可能
- と仮定した場合のすべてのセグメントを合計したLibmeldy®の年間売上想定<sup>2</sup>

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.
2. The sale price of Libmeldy® will vary from jurisdiction to jurisdiction and could vary for a variety of reasons, some of which are outside of the company's control. The net price utilized on this slide is for illustrative purposes only and is not an estimate or prediction of the average net price of Libmeldy® globally.

# 開発パイプライン: OTL-203, OTL-201

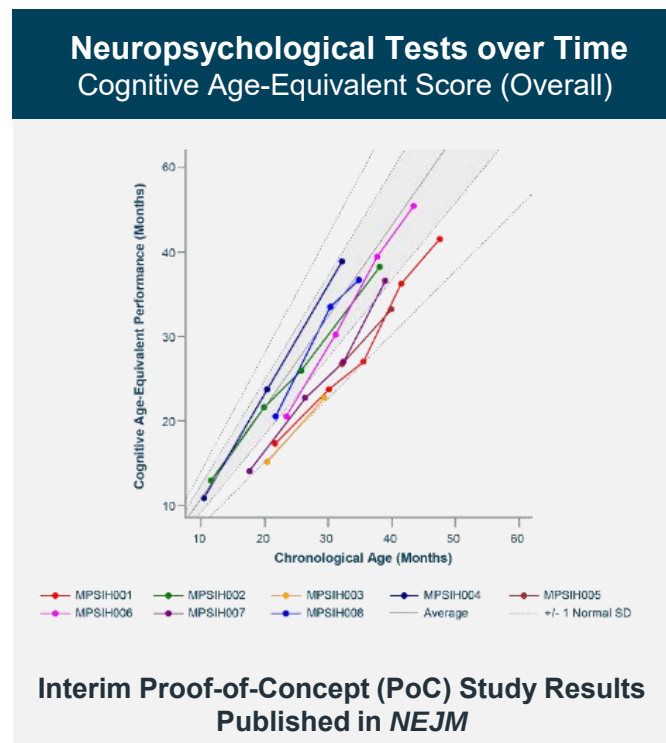
## OTL-203

### ■ 対象疾患：ムコ多糖症I型（Hurler病）

- 認知、成長、骨格など種々の機能に影響を及ぼす神経代謝疾患
- 発症率は出生数10万人に1人；米国を含むいくつかの地域では新生児スクリーニングが確立

### ■ 現在のステータス

- NEJMにてPoC試験の中間解析結果を発表<sup>1</sup>
- 2023年下半期にピボタル試験を開始予定



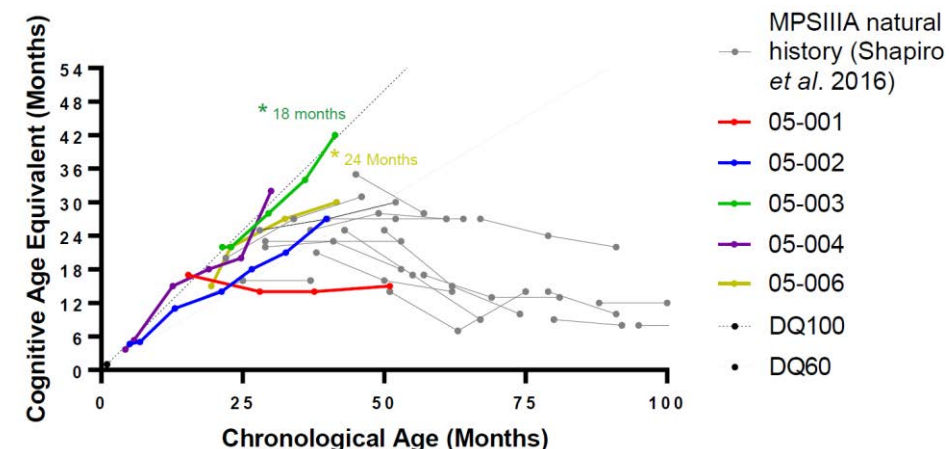
## OTL-201

### ■ 対象疾患：ムコ多糖症IIIA型

- ヘパラン硫酸の蓄積により重度の中樞神経障害と全身性症状を呈する
- 3歳から発達が遅延し、認知機能の低下、行動障害、技能の喪失を生じて死に至る。有効な治療法は存在しない。

### ■ 現在のステータス

- PoC 試験（Ph1/2）が進行中
- 生化学・臨床データが米国遺伝子・細胞治療学会にて発表済み



# 期待されるシナジー効果

## 日本発のグローバル・スペシャリティファーマとしてのさらなる発展

- クリースビータ・ポテリジオを通じた既存事業との連携により、高いUMNsを満たすLife-changingな価値を継続して創出するグローバル・スペシャリティファーマを実現する

## 新薬創出における研究開発力の強化

### 協和キリン

- ・ バイオ医薬品、抗体医薬品の研究開発における専門性と経験、事業化実績
- ・ 独自の次世代抗体技術
- ・ 新たな創薬モデルへの取り組み



### Orchard Therapeutics

- ・ EUにおける細胞遺伝子治療の事業化経験と実績
- ・ HSC-GT<sup>1</sup>における高い技術力 (研究開発, CMC, SCMなどを含む)
- ・ 患者さんへのアクセス、医療機関との連携
- ・ 新たな創薬モデルへの取り組み

- 患者さんへの先進的な価値提供への挑戦
  - ・ “One-time treatment in life”の追求
  - ・ 遺伝性疾患の根本原因究明への挑戦
  - ・ 個別化医療 / プレシジョンメディスン
  - ・ 既存の医薬品を超える治療法の提供
- より広いUMNsへの対応

1. 造血幹細胞遺伝子治療

# 結語

## ■ Orchard Therapeuticsの買収により

- 未だに治療法のないUMNsに対するパイプラインの増強が可能
- 将来のUMNsに対応するための細胞遺伝子治療に関するR&Dケイパビリティを獲得

- 治療遺伝子を導入した細胞を色々な臓器に送達可能
- 治療効果が長期間継続、One treatment in life

## ■ クリースビータやポテリジオとのシナジーを生み出すことで、グローバル・スペシャリティファーマとしてのさらなる発展を目指す

## ■ バイオ医薬品に代表される協和キリンの創薬技術・経験と、Orchard社の高度なHSC-GT技術を組み合わせることで、当社の長期的な創薬R&D能力を大幅に強化

協和キリンは、病気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に全力で取り組みます



～本資料のお問合せ先～

協和キリン株式会社  
コーポレートコミュニケーション部 IRグループ  
03-5205-7206 / [ir@kyowakirin.com](mailto:ir@kyowakirin.com)

# 戦略投資について ～Life-changingな価値の継続的な創出に向けて

## ポートフォリオ強化を目的とするライセンスイン、M&A投資

- Crysvita・Poteligeoとシナジーのある開発パイプライン  
◆骨、ミネラル ◆血液がん
- 各リージョンの強みを活かした導入  
◆腎 ◆血液/がん ◆免疫

## 新たな強みを創造するサイエンス・テクノロジーへの投資

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

### 2021-2025年中計キャッシュ・アロケーション\*



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