



協和キリン株式会社

Ziftomenib の開発・販売に向けた Kura Oncology 社との戦略的提携について

2024 年 11 月 21 日

イベント概要

[イベント名] Ziftomenib の開発・販売に向けた Kura Oncology 社との戦略的提携について

[登壇者] 5 名

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）

常務執行役員 CSO 藤井 泰男（以下、藤井）

常務執行役員 Chief International Business Officer
アブドゥル・マリック
（以下、マリック）

コーポレートコミュニケーション部長 中村 博樹（以下、中村）

中村：お待たせいたしました。それではただいまより、Ziftomenib の開発・販売に向けた、Kura Oncology 社との戦略的提携に関するオンライン説明会を開催いたします。

Ziftomenib ライセンス契約



血液がん・難治性血液疾患、希少疾患領域の強化を目的として、
米国Kura Oncology社とziftomenibの開発・販売に関するライセンス契約を締結

- 急性骨髄性白血病(AML)を対象とした経口メニン阻害薬、ziftomenibのグローバル開発および販売に関する戦略的提携契約を締結
- 契約一時金として\$330M、開発・承認・販売に関する各種マイルストーンとして最大\$1,161Mを支払う

Ziftomenib

- Kura Oncologyが開発中の経口の選択的低分子メニン阻害剤
- 開発疾患：メニン依存性AML（NPM1遺伝子の変異およびKMT2A遺伝子の再構成）
 - AMLの症例の最大50%はメニン依存性と推測される（NPM1遺伝子変異やKMT2A遺伝子再構成を含む）
 - NPM1遺伝子変異は最も一般的なAMLの変異の一つで、メニン経路を経由するドライバー変異。症例の30%-35%で見られる。
 - NPM1遺伝子変異を有するAMLは再発・難治性AMLにおける予後不良因子であり、新規治療法の標的として注目を集めている
- 作用機序：メニンとKMT2A (MLL) の結合の阻害による、白血球芽球の分化促進

2025年に再発難治性・NPM1遺伝子変異型AMLの承認申請を予定

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

4

藤井：おはようございます。藤井でございます。本日、当社と米国の Kura Oncology が、Kura 社が開発を進める ziftomenib について、グローバル開発および販売における戦略的提携契約を締結いたしました。

当社は、本契約締結に伴い、契約一時金として約 330 ミリオンドルを支払う他、開発・承認・販売のマイルストーンとして、最大約 1.2 ビリオンドルを支払います。Kura Oncology は、がん領域における個別化医療の可能性を実現することを目指し、複数の開発品を有する米国のバイオ製薬企業です。

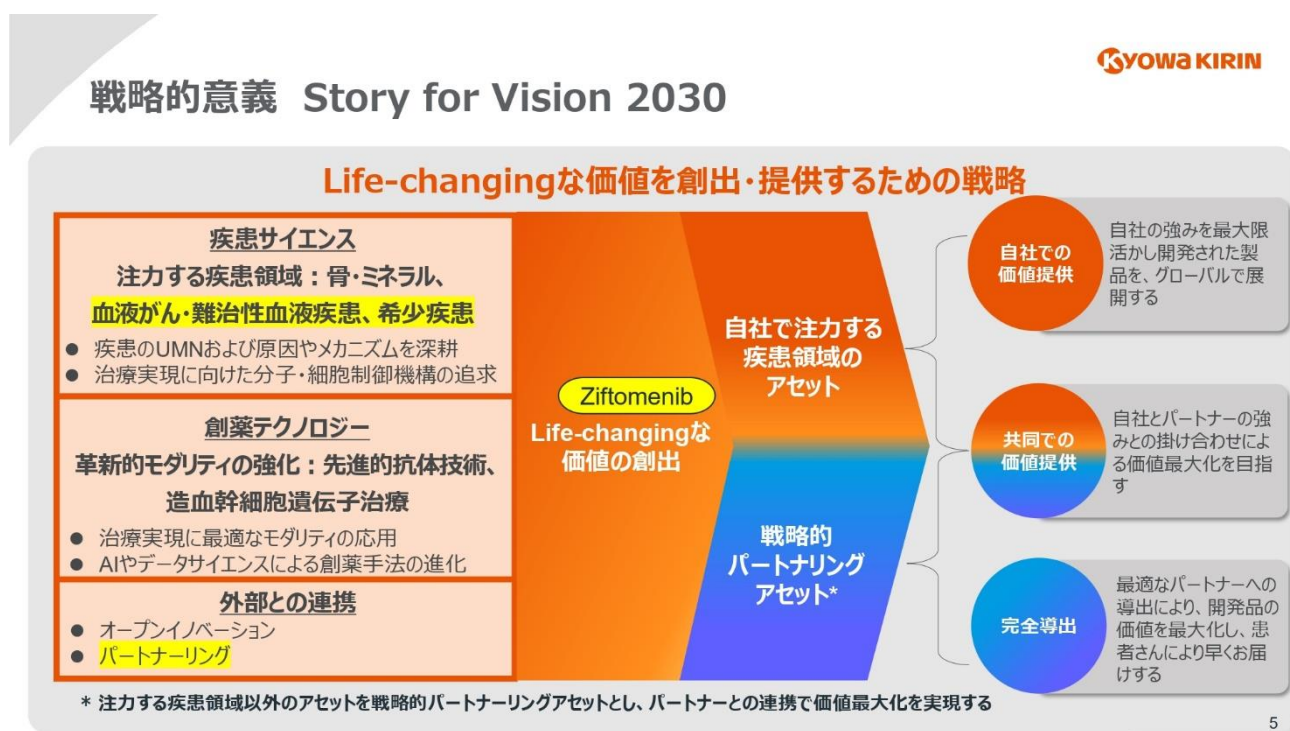
Kura 社のパイプラインは、がんのシグナル伝達経路を標的とする低分子開発品で構成されており、ziftomenib は急性骨髄性白血病、AML を対象疾患として開発を進める経口メニン阻害薬です。開発対象疾患のメニン依存性 AML は、AML 症例の 50%を占めると推測されます。

また、現在進行中の臨床試験で対象となっている NPM1 遺伝子の変異および KMT2A 遺伝子の再構成という遺伝子異常は、多くの症例で AML の発症原因となっているものと考えられます。

NPM1 遺伝子変異は、最も一般的な AML の変異の一つでメニン経路を経由するドライバー変異です。

この遺伝子変異を有する AML は、再発・難治性 AML の中でも予後不良因子であり、この変異を標的とする新規治療薬の開発に注目されています。作用機序は、メニンと KMT2A の結合阻害であり、これにより、白血球芽球の正常な分化を促進します。

本剤は、2025 年に再発難治性・NPM1 遺伝子変異型の AML に対する承認申請を予定しております。



当社は、2030 年ビジョンの実現に向けた戦略ストーリーとして、Story for Vision 2030 を発表しましたが、注力疾患領域において一定のグローバル売上規模が期待でき、Life-changing バリューを提供できる後期開発パイプラインの拡充は、重要な経営課題であり、継続的に探索してまいりました。

Ziftomenib は、当社が注力する血液がん・難治性血液疾患・希少疾患領域を対象とする後期開発品であり、予後不良と関連する NPM1、変異再発・難治性 AML の治療において、FDA からブレイクスルー指定を受けた最初で唯一の治療薬候補です。

このように、パートナーリングを通じた価値共創により、注力する疾患領域におけるパイプラインの拡充を図り、ビジョンの実現に向けた取り組みを加速してまいります。

Ziftomenib - Collaboration with Kura -

	US	ex- US
Development	• Kura leads development • Share global development cost • Kura funds development costs (~2028)	• Kyowa Kirin leads development
Commercialization	• Kura books sales • 50/50 profit share	• Kyowa Kirin commercializes and books sales
Sales Royalties		• Double-digit royalty to Kura
Commercial supply	• Kura supplies	• Kura supplies

Kyowa Kirin makes a \$330 million up-front payment and future contingent milestone payments potentially worth up to \$1,161 million in total, including \$420 million in near-term milestone payments and \$228M opt-in right for solid tumors, as well as royalty payments on future global sales to Kura.

© Kyowa Kirin Co., Ltd.

6

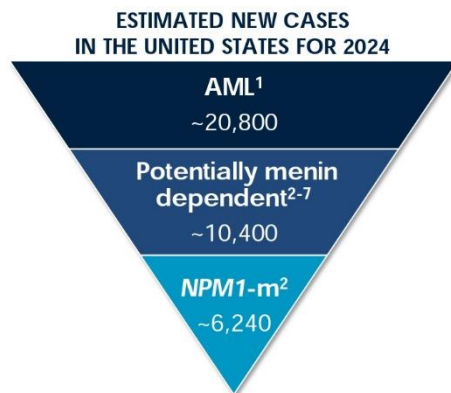
こちらは、Kura 社と当社の担当領域、経済条件などを示しております。

米国における開発は Kura 社がリードし、グローバル開発にかかるコストは、2028 年までは Kura 社が負担いたしますが、2029 年以降は両者折半となります。

米国以外での開発は当社がリードします。米国での売上は Kura 社が計上し、当社はプロフィットシェアとして利益の半分を受け取ります。

米国以外の売上は、当社が計上し、2 桁台のロイヤリティを Kura 社に支払います。製品供給は Kura 社が行います。なお、将来支払う可能性がある、最大約 1.2 ビリオンドルのマイルストーン支払には、固形がんに対するオプティンライト、228 ミリオンドルを含んでおり、数年内に最大 420 ミリオンドルの支払が行われる可能性がございます。

対象疾患 OVERVIEW



- There are an estimated 20,800 new cases of AML in the United States in 2024¹
- AML continues to carry a poor prognosis, where there remains a significant unmet need for additional treatments with durable efficacy and greater tolerability¹³,¹⁴
- AML is characterized by significant genetic heterogeneity due to the possible presence of multiple driver mutations, such as *NPM1*m and *KMT2A*r⁸,⁹
- Up to 50% of AML cases may be menin dependent, including those driven by *NPM1*m and *KMT2A*r²-⁷
- *NPM1*-m is one of the most common AML mutations, found in 30% to 35% of cases, and is an important upstream driver mutation that uses the menin pathway⁷,¹⁰
- *NPM1*-m AML is associated with poor outcomes in R/R AML,¹¹,¹² making it a potential target for novel therapies

AML, acute myeloid leukemia; *KMT2A*r, lysine methyltransferase 2A rearrangement; *NPM1*-m, mutated nucleophosmin 1; *NPM1*m, nucleophosmin 1 mutation.
 1. American Cancer Society. Updated January 17, 2024. Accessed October 16, 2024. <https://www.cancer.org/cancer/types/acute-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. Candoni A, Coppola G. *Hematol Rep*. 2024;16(2):244-254. doi:10.3390/hematolrep16020024 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/hemolymph/5a7e288d1ef5579c8636d31/> 7. Burrows F et al. Poster presented at: AACR-NCI-EORTC International Conference on Molecular Targets and Cancer Therapeutics: Discovery, Biology, and Clinical Applications; October 26-30, 2017; Philadelphia, PA. 8. Papaemmanuil E et al. *N Engl J Med*. 2016;374(23):2209-2221. doi:10.1056/NEJMoa1516192 9. The Cancer Genome Atlas Research Network. *N Engl J Med*. 2013;368(22):2059-2074. doi:10.1056/NEJMoa1301699 10. Faini B, Dillon R. *Blood Cancer Discov*. 2024;5(1):8-20. doi:10.1158/2643-3230.BCD-23-0144 11. Issa GC et al. *Blood Adv*. 2023;7(6):933-942. doi:10.1182/bloodadvances.2022008316 12. Ostronoff F et al. *J Clin Oncol*. 2015;33(10):1157-1164. doi:10.1200/JCO.2014.58.0571 13. Kumar CC. *Genes Cancer*. 2011;2(2):95-107. doi:10.1177/1947601911408076 14. Bhansali RS et al. *J Hematol Oncol*. 2023;16(1):29. doi:10.1186/s13045-023-0124-6

対象疾患である AML の概要です。

米国における 2024 年の新規症例数が 2 万 800 名と予想されている本疾患は、現在でも大きなアンメットメディカルニーズが残っております。この AML では、メニンと呼ばれるタンパク質が関与するケースが最大 50%に上ると考えられており、その中に ziftomenib の標的でもある NPM1 変異や KMT2A 再構成といった遺伝子変異の存在が認められています。

この NPM1 変異は、最も一般的な AML 変異の一つで、症例全体の 30 から 35%に認められており、本疾患の予後が不良であることにも関連しており、AML 治療のターゲットとして知られておりました。

NPM1m: ONE OF THE MOST COMMON AML MUTATIONS AND AN IMPORTANT DRIVER MUTATION IN THE MENIN COMPLEX



NPM1m is present in up to 35% of AML cases, making it one of the most common genetic alterations in AML¹

- Approximately two-thirds of patients with NPM1m carry a co-mutation²

- **NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®)** recommend expedited testing for NPM1m at diagnosis to inform prognosis and guide treatment decisions³
- Most patients (~97%) **retain NPM1m** after first-line therapy^{4,5}
 - Suggests that detection of NPM1m, as early as at diagnosis, can be referred back to when making treatment decisions during initial therapy and beyond

AML, acute myeloid leukemia; NCCN, National Comprehensive Cancer Network® (NCCN®); NPM1m, nucleophosmin 1 mutation.

1. Falini B, Dillon R. *Blood Cancer Discov*. 2024;5(1):8-20. doi:10.1158/2643-3230.BCD-23-0144 2. Sharma N, Liesveld JL. *Cancers (Basel)*. 2023;15(4):1177. doi:10.3390/cancers15041177 3. Referenced with permission from the NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) for Acute Myeloid Leukemia V.3.2024. © National Comprehensive Cancer Network, Inc. 2024. All rights reserved. Accessed August 27, 2024. To view the most recent and complete version of the guideline, go online to NCCN.org. NCCN makes no warranties of any kind whatsoever regarding their content, use, or application, and disclaims any responsibility for their application or use in any way. 4. Issa GC et al. *Blood Adv*. 2023;7(6):933-942. doi:10.1182/bloodadvances.2022008316 5. Falini B et al. *Blood*. 2011;117(4):1109-1120. doi:10.1182/blood-2010-08-299990

8

NPM1 変異に関して少し説明いたします。

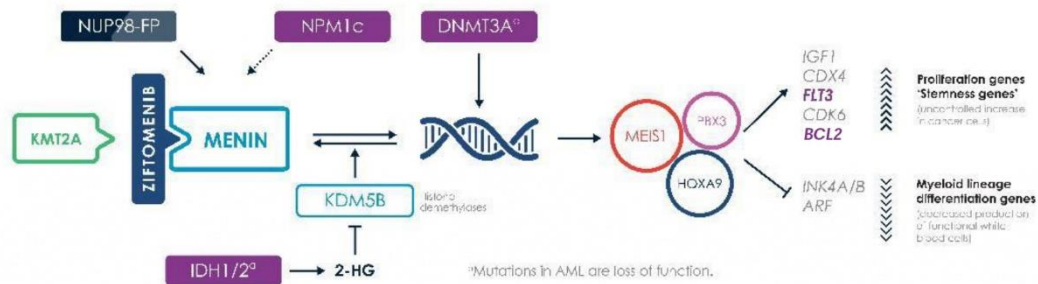
米国のがんに関係する非営利団体 NCCN が提唱するガイドラインでは、予後を把握し、治療方針を決定するために、診断時に NPM1 変異の迅速検査を推奨しています。

また、約 97% の患者さんが、1 次治療後も NPM1 変異を保持しています。これは、早期に NPM1 変異を検出することが、初期およびそれ以降の治療方針を決める際に必要な情報であるということを示唆しています。

Ziftomenib Targets the Menin-KMT2A Pathway, A Foundational Target in AML



- *NPM1*-m and *KMT2A*-r drive overexpression of *HOXA9/MEIS1* genes, critical for transformation to AML
- *KMT2A*(*MLL*) sits upstream from major AML targets (i.e., *FLT3*, *BCL2*, *IDH1/2*, *DNMT3A*)
- *KMT2A*(*MLL*)-dependent genes contribute to therapeutic resistance and relapse to current therapies
- Menin inhibition downregulates *HOXA9/MEIS1*, leading to differentiation of leukemic blasts



1. Lu et al. Cancer Cell 2016;30(1):92-107; 2. Ferreira et al. Oncogene 2016;35(23):3079-82; 3. Jeong et al. Nat. Genet 2014;46(1):17-23; 4. Wang et al. Blood 2005;106(1):254-64; 5. Chowdhury et al. EMBO Rep 2011;12(5):463-9; 6. Schmidt et al. Leukemia 2019;33(7):1608-19; 7. Xu et al. Cancer Cell 2016;30(6):863-78; 8. Collins & Hess. Curr Opin Hematol 2016;23(4):354-61; 9. Brunetti et al. Cancer Cell 2018; 34(3):499-512.

9

こちらは、本剤の作用機序についてのスライドです。

NPM1 変異と、KMT2A 再構成は、通常の白血球が AML となる原因である遺伝子の過剰発現を引き起こします。また、この KMT2A というタンパク質は、主要な AML ターゲットの上流に位置しています。

この分子が影響を及ぼす遺伝子は、現在の治療法に対する抵抗性および AML の再発に寄与しています。ここで、メニンとこの分子の結合を阻害することによって、白血病芽球の正常な分化が促進され、その結果として、AML に対する治療効果が発現いたします。

Ziftomenib Demonstrates Potential to Become a Cornerstone of AML Therapy



Targets foundational mutations in up to 50% of AML cases

- **Compelling clinical data support frontline opportunity**
 - Good tolerability profile, enabling continuous administration in combination with SOC
 - Combinations appear to mitigate the risk of differentiation syndrome
 - No observed or predicted drug-drug interactions
 - Encouraging preliminary evidence of clinical activity
- **Strong investigator enthusiasm as evidenced by rapid enrollment across studies**
 - First 20 patients enrolled in KOMET-007 combination trial in less than four months
 - Now dosing patients in KOMET-008 combination trial with SOC, including FLT3 inhibitor
 - Enrollment in KOMET-001 monotherapy registrational trial completed in < 16 months

10

最後に、ziftomenib のポテンシャルをまとめます。

本剤は、良好な忍容性プロファイルにより、標準治療との併用で継続投与が可能です。また、併用療法により、分化症候群のリスクが軽減され、薬物相互作用の懸念も少ない状況です。これにより、臨床での有効性が期待できるものとみています。

臨床試験における症例登録スピードも順調で、KOMET-007 併用試験では、対象の 20 人の患者が 4 カ月未満で登録完了しております。また、標準治療との併用試験である KOMET-008 試験では、患者さんへの投与を開始しており、単剤の KOMET-001 の患者登録も 16 カ月未満で完了いたしました。

以上のように、この ziftomenib は非常に高いポテンシャルを有する化合物であり、当社の注力する血液がん・難治性血液疾患のパイプラインにふさわしいプロダクトであると考えております。

本日のご説明は以上です。

質疑応答

山口 [Q]：シティの山口です。一つ目の質問が、財務的なインパクトです。トータル 1.2 ビリオンというよりも、イニシャルとかセカンドのマイルストーンが出ていくと思うのですが、この PL へのインパクトについて、最初ご解説をお願いします。

川口 [A]：山口さん、ご質問ありがとうございます。川口からお答えいたします。

まず、PL インパクトです。今年 2024 年に関してはほとんどない。ただし、この 330 ミリオンの契約一時金、アップフロントに関しては 12 月に支払う予定ですので、キャッシュ的にはその部分のキャッシュのマイナスが入ってくるというのが、今年の最大のインパクトで、PL インパクトはほとんどないということです。

それから 2025 年からですが、まずこの今 US で、再発・難治性 AML の単剤療法、こちらが 2025 年度に上市すれば、その部分の粗利のシェア部分がまず収益として計上されていく。そこはまだそんなに大きな金額ではない。

一方、費用に関しましては、そのこの上市に向けた準備費用が、もう 2025 年から発生してきますので、こちらの US での準備費用の折半部分が入ってくる。加えて、このアップフロントと、それから今後支払っていくマイルストーンは、無形資産に計上していきますが、承認申請を得てから償却が開始しますので、こちらの償却も、承認されれば一部入ってくるというのが一つ。

あともう 1 点は、開発費ですね。開発費に関しては、グローバル開発のコストは、2028 年までは Kura 社が全額費用負担するというスキームになっておりますので、こちらは発生しないです。一方で、このグローバル試験以外で、若干ですが、例えばブリッジングの試験費用ですね。日本で、例えば当局に申請していくための繋ぎの費用みたいなところは、これは私どもが持つということで、若干の開発費がかかる。

詳細に申し上げますとそういった構造になっております。結果として、どれぐらいの規模かということになりますと、100 億円という規模にはなりません。それより下の、数十億という規模でのマイナスインパクトが数年ぐらいは続くというようなイメージでございます。

山口 [Q]：ありがとうございます。二つ目が、競合環境。このエリア、メニン阻害剤のランドスケープです。御社はもちろんブレイクスルー取ってるし、先行してるんですけど。シンダックスも来

年の前半かな、申請してて、レブメニブですかね、同じようなタイミングで出てくる薬剤もあるようです。

この薬剤間の特性、特に QT 延長とか、differentiation syndrome などが一つ話題になっていると思います。その差別化ポイント、タイミングも含めて、御社、行けると思ってるから買っているんですけど、いかがでしょうか。

藤井 [A]：ご質問ありがとうございます。藤井でございます。

今まさに山口様ご指摘いただきました通り、セーフティーの部分、その忍容性とか含めまして、この薬剤は非常に安全性が他社に比べて、今のところ優れてるんじゃないかと考えておりました。

そのことは、今後ファーストラインの方にも適応を増やしていくという考えを持っております。そういったところで他社に比べて大きな差別化のポイントになるのではないかなと今のところ考えております。

山口 [Q]：一応タイミングとしては、シンダックスには負けないですかね。それとも乙甲ですかね。

山下 [A]：山下です。タイミングは明確にはまだよくわからないというところです。先日、シンダックス社の方が、KMT2A リアレンジメントの方ですけども、そちらのモノセラピーの承認が得られたということと、それからこの NPM1 のところを進めてるという報告をされていまして。

彼らも来年になると思うんですけど、申請作業、申請っていうプロセスに入っていくんじゃないかなと思ってます。ですので、ちょっとその辺の正確なところはわかりませんが、我々、先ほどありましたように、ブレイクスルーセラピーいただいているので、速やかに申請後、プロセスも進むのかなと思っておりますので、ちょっとその辺はまた相手さんのことは。

山口 [M]：そうですね。わかりました。ありがとうございます。以上です。

若尾 [Q]：JP モルガンの若尾です。ありがとうございます。

私も競合の状況ということで教えていただきたいのですが。今はシンダックスに関して、シンダックスのものよりも QT 延長とか分化症候群の発現率が低いだろうということでご説明いただいたんですが。

私が伺いたいのは、住友ファーマの enzomenib と比べてどうかという話です。enzomenib は同様に QT 延長であったりとか、分化症候群の発現率が低く、どちらかというと今回、御社が提携して

いるものよりも安全性プロファイルが良いのかなと思うのですが、enzomenib に対してどうかというのを教えてください。

あと、Box Warning として、シンダックスのものは細胞分化症候群というのが Box Warning でついているんですけど。御社の今回の提携したものに関しては、Box Warning はつかない可能性が高いと見ていてよろしいですか。このあたりを教えてください。これが一つ目です。

山下 [A]：山下よりお答えします。まず、住友ファーマさんの開発中のものっていうのは、私どももプロダクトのプロファイルは存じ上げていませんので、明確にその比較っていう形でのコメントはしがたいところでございます。

differentiation syndrome につきましては、これ、モノセラピーのときに非常に強く出るんですけども、ファーストラインのコンビネーションセラピーでは、そもそも分化していくソースになるプラスト細胞が、前治療と併用治療のものでかなり除かれるので、differentiation syndrome の部分については、コンビネーションのところでは問題視される部分はぐっとリデュースされるんじゃないかなと考えております。

それから、Box Warning のところですよ。拝見する限り、シンダックス社さんの方は、differentiation syndrome でグレード 5 があったようだということで、その辺が大きく取り上げられてるのかなと推察しております。

この Kura 社の方で進めてきているところでは、そのようなシビアな differentiation syndrome は出ていないということで、ここは差が出る可能性があるかなと思っております。

若尾 [Q]：ありがとうございます。よくわかりました。二つ目です。今回の提携の位置づけと、今後さらにパイプラインの強化をどのように考えているか知りたいのですけれど。

Orchard を買収された際には、あれはどちらかというと長期的な業績貢献を考えてらっしゃると。それに対して、今後数年間で早期に利益に寄与するようなものの買収なり提携なりを考えているということだったのですが。その今回の提携というのは、今後数年間の業績寄与を見込んだ提携であると、前回、これまでにおっしゃっていたものの流れに沿った提携であると考えていいのかというのと。さらに提携なり買収もご検討かを教えてください。以上です。

藤井 [A]：ご質問ありがとうございます。藤井でございます。

今回の提携は、後期の開発品という我々の経営課題が以前から指摘されてますし、我々も認識しておりましたが、その一つの解決になるものじゃないかとは思っております。

来年には、セカンドラインの申請も予定しておりますので、そのあたりで、承認・上市に結びつけば、短期のインパクト、ポジティブな方に運ぶでしょうし。また長期的には、ファーストライン*という適応の拡大もございますので、長期的にも我々の将来のビジネスを引っ張っていくようなコンパウンドになるのではないかと期待しております。

今後も引き続き、戦略投資につきましては、これまで我々が、私どもが述べてきた方向性に変わりはありません。引き続き、後期開発品を中心としたポートフォリオを強化する目的で、この戦略提携の案件については積極的に検討を重ねてまいりたいと思っております。

*transcript にて会社修正

若尾 [Q]：わかりました。じゃあ今回の提携で、この戦略的提携が一段落するというわけではなくて、話があれば積極的に今後も進めていくと理解しておけばよろしいですかね。

藤井 [A]：そうですね。話があればというのにとどまらず、こちらの方から能動的に、機会の探索を進めていって、良い話があれば、あるいはいいものがあれば積極的に対話を続けていきたいなと思っております。

若尾 [M]：ありがとうございます。よくわかりました。以上です。

村岡 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレー、村岡です。

私も似たような質問になるんですけど。先ほど業績への影響のお話のところに、来期以降、数十億円程度のマイナスが数年続くみたいにおっしゃられたんですが、すみません、ちょっとそれをもう少しご解説いただきたいんですけど。

御社のコア OP、無形の償却を除外してなかった気がするんですが。無形の償却、これ多分年間 100 億円以上出ますよね。そこにローンチコスト足して、そういう計算になるのがピンと来なかったの。もう少しその数十億に至るロジックを分解して教えてください。

川口 [A]：ご質問ありがとうございます。特にあれですよ、無形資産の償却の規模感が、ご計算されるものとちょっと違うんじゃないかというご質問ですかね。

一つは、無形資産に関しては、今回のアップフロントの 330 ミリオンと、ニアタームで最大でいくと 420 ミリオン、これが無形資産に計上されます。

ただしこの中では、US に関する支払部分と、ex-US ですね。US 外の支払が区分されてます。償却を始めるのはこの US での再発難治性の単剤療法ですね。こちらが承認されたら、そこから US に対する支払部分の償却が開始されると。

しかも、償却期間は 10 年を超える償却期間ですので、決して 100 億円単位の償却費が毎年かかってくると、そういう計算にはならないということでございます。

村岡 [Q]：わかりました。ありがとうございます。つまり、数十億円の赤字の部分は、ほぼほぼその 100 億円にも至らない毎年の償却分がほとんどで、実質的なこのビジネスは、割と 50、50、利益シェアした上で、もうすぐに、小さいけれども黒字で始まって、その後、利益は拡大していく、そういうイメージでいってことですか。

川口 [A]：前半部分は、やっぱり販売コスト、こちらの折半部分の方が利益折半で得られる粗利のシェア部分よりも若干多い部分も考えられますので、そのタイミングがどうなるのかは、このセカンドラインの販売の状況によるというところになります。

我々としては、一番期待してるのはこのファーストラインの方ですね。こちらがしっかり上市して、収益貢献してくると、特に 2030 年以降のクリスビータのпатентクリフをしっかり埋めていくパイプラインになろうかなと。

もちろん、KHK4083、rocatinlimab が一つの大きな柱ですが、ここに対してもう 1 本、この今回の ziftomenib が、特に 2030 年以降に大きな利益貢献してくるというところが、我々としては最大の期待とご理解いただければと。

村岡 [Q]：ありがとうございます。そのとこですけど、ピーク売上みたいな質問になるんですけれども、セカンドラインだけだとどうなんでしょう。数百ミリオンドルが限界だけれども、ファーストラインまで行くと、Kura もマルチビリオンダラーだって、確か資料に書いてあったし。シンダックスの資料を見ても、最大で 4 ビリオンドルみたいな書き方もしてるんで。

やっぱり、セカンドラインだと 500 行けばもう御の字だけれども、ファーストラインまでいけばマルチビリオンっていうのは御社も思っている。だからこそ、これだけの規模のアップフロントをニアタームマイルストーンだと思うんですが、そういう目線で見えておいて、ずれてないでしょうか。

川口 [A]：ピーク時の売上を現時点で申し上げるのは、ちょっと適切ではないと思いますので差し控えさせていただきますが、理解としては、我々がここに投資してる意味は、このファーストラインの可能性が非常に、ここにかけるということはご理解の通りかなと。

村岡 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

酒井 [Q]：UBS の酒井です。今のファーストラインのお話です。Kura の方のリリースからは、フロントラインセッティング、これ 2025 年にフェーズ 3 を始めるという表現があると思うんですね。fit and unfit frontline AML と書いてありますけれども。

ということは、今、川口さんおっしゃったように、ファーストラインが重要だよというお話ですが、その部分についてはこれからという理解でよろしいのでしょうか。

山下 [A]：ご質問ありがとうございます。ファーストラインについて、今、ご指摘ありましたように、Kura の方が発表しておりますけども、25 年に開始していくということです。これ、あと当局とのネゴシエーションになりますけども、できるだけ早く承認を得られるような形で進めていくことになります。

酒井 [Q]：フロントラインセッティングで3 ビリオンという数字が出てますけれども。これは Kura が言ってることなんで、御社としてはそれをベースにして今回の提携、経済的な条件を決めたという、3 ビリオンってどこまでが正確かわかりませんが、そういう認識でよろしいですか。

藤井 [A]：藤井でございます。そうですね、Kura の言ってるのと近い見積もりをしておりますで、米国だけでも、ファーストラインで推量させると、年間で 30 億ドル規模の市場の機会ですけど、市場の機会があると考えてるということでございます。

酒井 [Q]：わかりました。ありがとうございます。二つ目の質問です。今回、モノで申請する。これ、25 年に承認申請予定とおっしゃいましたけれども、これは、Clinical Trials. gov とか見ると、治験のサイトがほとんど米国だけで、いわゆる御社が見る担当、カバーする米国外ではほとんど治験が行われてないようにちょっと拝見してしまうんですけれども。

この辺は、どういう形で今後、御社としては米国外へ開発を進めるのか。ブリッジングという手があるのかどうかわかりませんが、この手の疾患ですから。その辺の開発戦略についてちょっと教えていただけますか。

山下 [A]：山下でございます。今回の 2025 年承認とは、これもあくまで FDA からブレイクスルーセラピーのデジグネーションをいただいている中で、アメリカのタイムラインを示しているということです。アメリカ以外のところは今まさに鋭意検討中で、またその辺、ご紹介できるようになったらお示ししたいと思います。

酒井 [Q]：そうすると、フロントラインが出るまでは、何て言うんですかね、売上っていうんですか、収益貢献はかなり限定的になると。確かに、ここでお示しされてる対象疾患の人数はわかるんですけれども。浸透ということを考えると、今あれですか、クリースピータの patents 切れの 2030 年以降とおっしゃいましたけども、その年ぐらいまではかかりそうだなという、そういうイメージを持っておけばよろしいですかね。

川口 [A]：川口です。収益貢献というか、利益的に非常にインパクトを持ってくるのは、2030 年の前後ぐらいを我々としては考えておると、そんなイメージです。

酒井 [Q]：利益貢献っていうのは、先ほどの償却の話も出ましたが、それをカバーした上でプラスに、水面上に浮上するということですね。

川口 [A]：そうですね。あと 2029 年からは、開発費も折半始まりますので、そういうのも含めてトータルで見て、利益的に大きなインパクトで貢献してくると、そういうタイミングのイメージが 2030 年というお話をしてるということです。

酒井 [Q]：その頃にはファーストラインも出てるだろうという前提ですね、そうすると、当然ですけど。

川口 [A]：それは期待感として、その頃に出て。

酒井 [M]：いや、出てないと採算取れないんじゃないかっていう心配がちょっとありましてですね。わかりました。ありがとうございます。

若尾 [Q]：すみません、2 回目になって申しわけございません。開発のタイムラインを改めてちょっと整理していただきたいんです。

今回の御社の資料にはないんですけれども、一応 Kura の資料にありまして、その KOMET-001、モノセラピーに関しては、トップラインが来年の頭に出きますと。これで申請していくんだと理解したんですけど。

あとはそのコンビネーション等々あるんですが。そのファーストラインが、今、2025 年以降とか何とかっていうお話があったんですけど、もうちょっとその開発タイムラインを、モノセラピーとかコンビネーションとか、アーリーなラインとか、整理していただけないですか。ちょっといまいち正しく理解できていないので、お願いします。

山下 [A]：今回、セカンドラインと言ってるものが、先ほどから申し上げている、トップラインデータが出てきて、来年申請承認を目指すといったところになっております。これは NPM1 変異のモノセラピーです。

我々がもう一つ重要だと言ってるものは、いわゆるコンビネーションセラピーのファーストラインで、これについては今、フェーズ 1 をやっているところなんですけれども、そこが 007 という試験でデータが出てくるところです。

それをもって、先ほどにありました、ファーストラインの承認を取りに行く試験を、2025 年からスタートすると。Kura の方は mid-2025 っていうことで、ここでは NPM1 変異だけではなくって、KMT2A のリアレンジメントという変異の患者さんも入れて、ファーストラインの試験をやっていくといったところです。

若尾 [Q]：わかりました。じゃあそうすると、その KOMET-007 のデータが来年のどっかのタイミングで出てくるということですよ。mid-2025 から、ファーストラインの試験やるとするならば、来年の前半とかに出てくるんですか。

山下 [A]：そうですね、ちょっとそこは Kura の方でコメントされてるのではないかなと思います。

若尾 [Q]：じゃあ具体的なタイミングは、今時点では言えないってことですかね。

山下 [A]：はい、一応 Present preliminary data from Phase 1b、KOMET-007、2025 という風に開示しております。

若尾 [Q]：わかりました。ありがとうございます。ちょっとまたさっきの自分の質問と同じような質問するんですが、一通り今のご説明伺いますと、結局ファーストラインが重要で、2030 年以降ですぐに業績寄与しますってことと理解したんですけど。

そうしますと、結局御社なんか今後数年間の業績が、新薬も出てこなくなってしまうと、踊り場になるような状況だと我々も見ていて、御社もそう認識されていたと思います。そして、短期的に業績貢献するようなものを、何か買収するとかも視野に入れてるようなことをおっしゃってました。それを今も考えてるってことっていいんですよね。

藤井 [A]：先ほどもお答えしましたが、我々、Story for Vision 2030 をご案内しまして、我々のフォーカスする領域を明らかにいたしましたので。まだまだ経営課題として、後期ラインのパイプラインの充実というのは、引き続き課題として残ってると思いますので、積極的に、こちらの方から機会探索をやって、フィットする機会があればぜひ進めていきたいなと強く考えております。

若尾 [Q]：わかりました。じゃあ短期業績に寄与するものの重要度というのは、依然高くて、ただその案件が、フィットするものがないだけであると理解しておけばいいですよ。なので、重要度は高い。強化自体は重要度が高いと認識していいんですよね。

藤井 [A]：はい、もちろんそうです。

若尾 [M]：わかりました。ありがとうございます。以上です。

中村 [M]：ありがとうございました。

それではこちらをもちまして、Ziftomenib の開発・販売に向けた Kura Oncology 社との戦略的提携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いたします。

以上