



Better Health, Brighter Future

会社名 武田薬品工業株式会社

代表者 代表取締役社長 CEO クリストフ・ウェバー

(コード番号 4502 東証第1部)

報道関係問合せ先 グローバル コーポレートアフェアーズ

小林一三 03-3278-2095

E-mail: kazumi.kobayashi@takeda.com

## Takeda Information

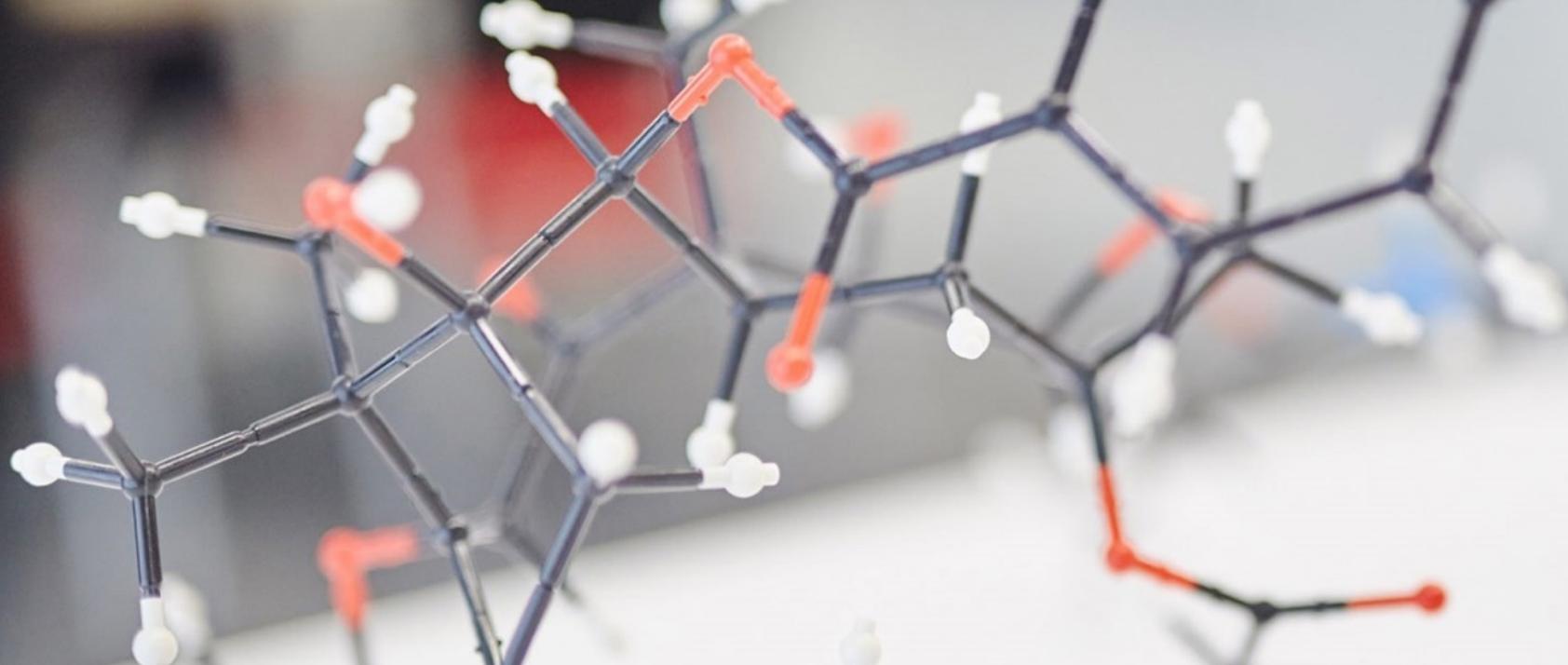
2020年12月8日

### ウェーブ1パイプライン市場機会に関するカンファレンスコール開催について

当社は、12月9日(水)午前7:00-9:15(米国東部時間12月8日(火)午後5:00-7:15)に「ウェーブ1パイプライン市場機会に関するカンファレンスコール」を開催しますので、プレゼンテーション資料を公開させていただきます。ウェーブ1パイプラインとは、当社が2024年度までに承認取得を見込む12の新規候補物質のことであり、カンファレンスコールでは、ウェーブ1パイプラインの中から、複数の新規候補物質のポテンシャルを紹介させていただくとともに、それぞれのピーク時売上高と中長期の持続的成長の見通しについて説明させていただきます。

本カンファレンスコールの様子は、当社ウェブサイトの[IRイベントのページ](#)から視聴が可能です。

以上



# WAVE 1パイプライン市場機会に関するコール



2020年12月9日（日本時間）／2020年12月8日（東部時間）

武田薬品工業株式会社

Better Health, Brighter Future

# 重要な注意事項



本注意事項において、「プレゼンテーション (presentation) 」とは、本プレゼンテーションにおいて武田薬品工業株式会社 (以下、「**武田薬品**」) によって説明又は配布された本書類、口頭のプレゼンテーション、質疑応答及び書面又は口頭の資料を意味します。本プレゼンテーション (それに関する口頭の説明及び質疑応答を含みます) は、いかなる法域においても、いかなる有価証券の購入、取得、申込み、交換、売却その他の処分の提案、案内若しくは勧誘又はいかなる投票若しくは承認の勧誘のいずれの一部を構成、表明又は形成するものではなく、またこれを行うことを意図しておりません。本プレゼンテーションにより株式又は有価証券の募集を公に行うものではありません。米国1933年証券法に基づく登録又は登録免除の要件に従い行うものを除き、米国において有価証券の募集は行われません。本プレゼンテーションは、(投資、取得、処分その他の取引の検討のためではなく) 情報提供のみを目的として受領者により使用されるという条件の下で (受領者に対して提供される追加情報と共に) 提供されております。当該制限を遵守しなかった場合には、適用のある証券法違反となる可能性がございます。

武田薬品が直接的に、又は間接的に投資している会社は別々の会社になります。本プレゼンテーションにおいて、「武田薬品」という用語は、武田薬品及びその子会社全般を参照するものとして便宜上使用されていることがあり得ます。同様に、「当社 (we, us及びour) 」という用語は、子会社全般又はそこで勤務する者を参照していることもあり得ます。これらの用語は、特定の会社を明らかにすることが有益な目的を与えない場合に用いられることもあり得ます。

## 将来に関する見通し情報

本プレゼンテーション及び本プレゼンテーションに関して配布された資料には、武田薬品の見積もり、予測、目標及び計画を含む当社の将来の事業、将来のポジション及び業績に関する将来見通し情報、理念又は見解が含まれています。将来見通し情報は、「目標にする (targets) 」、「計画する (plans) 」、「信じる (believes) 」、「望む (hopes) 」、「継続する (continues) 」、「期待する (expects) 」、「めざす (aims) 」、「意図する (intends) 」、「確実にする (ensures) 」、「だろう (will) 」、「かもしれない (may) 」、「すべきであろう (should) 」、「であろう (would) 」、「することができた (could) 」、「予想される (anticipates) 」、「見込む (estimates) 」、「予想する (projects) 」などの用語若しくは同様の表現又はそれらの否定表現を含むことが多いですが、それに限られるものではありません。これら将来見通し情報は、多くの重要な要因に関する前提に基づいており、実際の業績は、将来見通し情報において明示又は暗示された将来の業績とは大きく異なる可能性があります。その重要な要因には、日本及び米国の一般的な経済条件を含む当社のグローバルな事業を取り巻く経済状況、競合製品の出現と開発、関連法規の変更、製品開発計画の成功又は失敗、規制当局による判断とその時期、金利及び為替の変動、市場で販売された製品又は候補製品の安全性又は有効性に関するクレーム又は懸念等、新規コロナウイルス・パンデミックのような健康危機が、当社が事業を行う国の政府を含む当社とその顧客及び供給業者に及ぼす影響、買収対象企業とのPMI (買収後の統合活動) の時期及び影響、武田薬品の事業にとってのノン・コア資産を売却する能力及びかかる資産売却のタイミング、当社のウェブサイト(<https://www.takeda.com/investors/reports/sec-filings/>)又は[www.sec.gov](http://www.sec.gov) において閲覧可能な米国証券取引委員会に提出したForm 20-Fによる最新の年次報告書及び当社の他の報告書において特定されたその他の要因が含まれます。武田薬品は、法律や証券取引所の規則により要請される場合を除き、本プレゼンテーションに含まれる、又は当社が提示するいかなる将来見通し情報を更新する義務を負うものではありません。過去の実績は将来の経営結果の指針とはならず、また、本プレゼンテーションにおける武田薬品の経営結果は武田薬品の将来の経営結果又はその公表を示すものではなく、その予測、予想、保証又は見積もりではありません。

## 国際会計基準に準拠しない財務指標

本プレゼンテーションには、実質的な売上収益、Core営業利益、実質的なCore営業利益、Core純利益、実質的なCore EPS、有利子純負債、EBITDA、調整後EBITDA、フリー・キャッシュ・フローのように、IFRSに準拠しない財務指標が含まれています。当社役員は業績評価並びに経営及び投資判断を、IFRS及び本プレゼンテーションに含まれるIFRS以外の指標に基づき行っています。IFRSに準拠しない財務指標においては、最も近いIFRS財務指標では含まれることとなる、又は異なる数値となる一定の利益、コスト及びキャッシュ・フロー項目を除外しております。IFRSに準拠しない財務指標を提供することで、当社役員は、投資家の皆様に対し、当社の経営状況、主要な業績及び動向の更なる分析のための付加的な情報を提供したいと考えております。IFRSに準拠しない財務指標は、IFRSに準拠するものではなく、付加的なものであり、また、IFRSに準拠する財務指標に代替するものではありません (IFRSに準拠する財務指標を「財務ベース」指標として参照している場合があります)。投資家の皆様におかれましては、IFRSに準拠しない財務指標につき、本プレゼンテーションのスライド158-159に記載した、これらに最も良く対応するIFRS準拠財務指標との照合を行っていただけますようお願い申し上げます。

## 医療情報

本プレゼンテーションには、製品についての情報が含まれておりますが、それらの製品は、すべての国で発売されているものではありませんし、また国によって異なる商標、効能、用量等で販売されている場合もあります。ここに記載されている情報は、開発品を含むいかなる医療用医薬品の効能を勧誘、宣伝又は広告するものではありません。

## 財務情報

当社の財務諸表は、IFRSに基づき作成しております。

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	<b>武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー</b> 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	<b>革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目</b> リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	<b>ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築</b> USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	<b>TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性</b> グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	<b>TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン</b> グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	<b>Q&amp;Aセッション</b>
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	<b>武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー</b> 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	<b>革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目</b> リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	<b>ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築</b> USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	<b>TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性</b> グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	<b>TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン</b> グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	<b>Q&amp;Aセッション</b>
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要

# バリュー（価値観）に基づいた、グローバルな 研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー



## PURPOSE

Better health for people, brighter future for the world

## VISION

Discover and deliver life-transforming treatments, guided by our commitment to patients, our people and the planet

## VALUES

We are guided by our values of Takeda-ism which incorporate **Integrity**, **Fairness**, **Honesty**, and **Perseverance**, with Integrity at the core. They are brought to life through actions based on **Patient-Trust-Reputation-Business**, in that order

## IMPERATIVES

### PATIENT

- Responsibly translate science into highly innovative, life-changing medicines and vaccines

- Accelerate access to improve lives worldwide

### PEOPLE

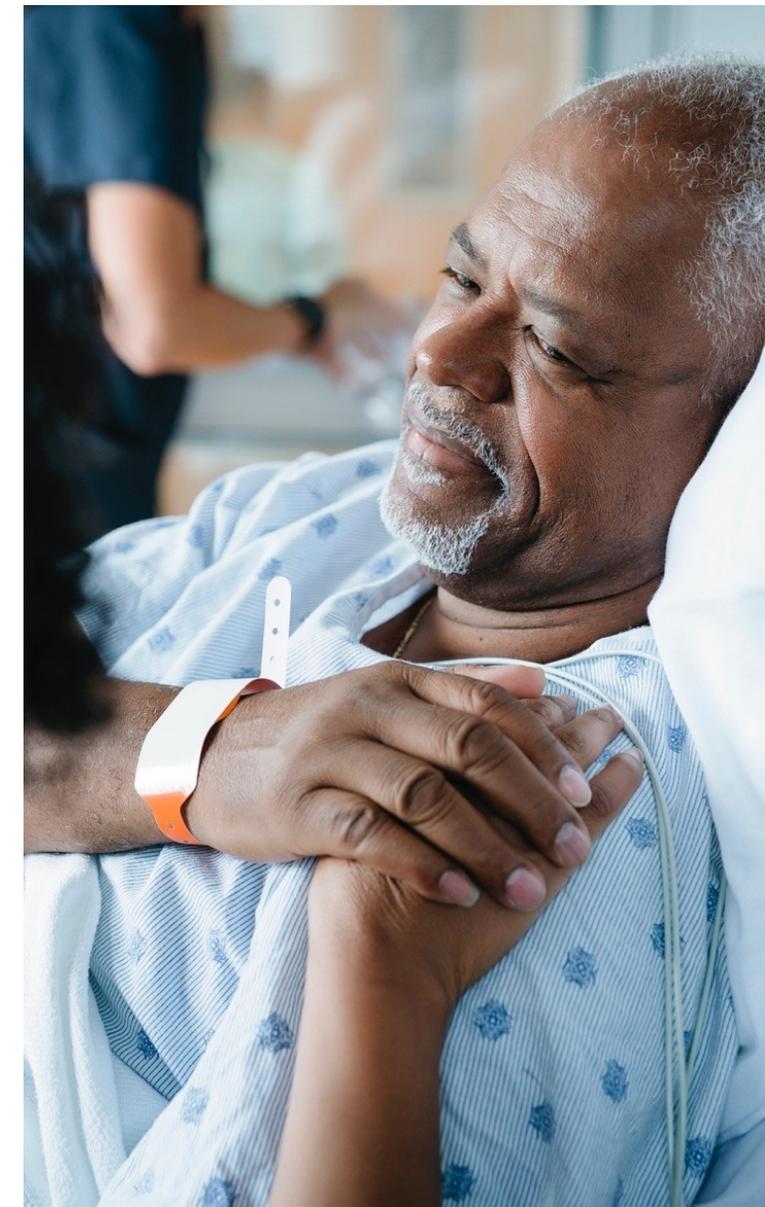
- Create an exceptional people experience

### PLANET

- Protect our planet

## UNLEASH THE POWER OF DATA AND DIGITAL

- We strive to transform Takeda into the most trusted, data-driven, outcomes-based biopharmaceutical company



# 世界トップ10の研究開発型バイオ医薬品企業への変革



成長の加速と  
患者さんへのインパクト

今後10年

サイエンスにより  
生活を一変させる治療薬を創出

ウェーブ1とウェーブ2の  
パイプライン成長機会

長期

グローバルでの  
患者さんへのインパクト  
**成長の加速**

売上収益ゴール  
**2030年度までに5兆円<sup>2</sup>**

One Takeda

現在

バリュー（価値観）に基づく、  
グローバルな研究開発型の  
バイオ医薬品企業  
5つの主要なビジネスエリア、  
14のグローバルブランド  
12のWave 1パイプライン

2020年度予想

グローバルで <b>トップ10</b>	財務ベース 売上収益予想 <b>3兆2,000億円</b>
------------------------	-------------------------------------

実質的なCore営業利益<sup>1</sup>率  
**30%台前半**

戦略的進化

2014年

グローバル化

研究開発体制の変革

2014年度

グローバルで <b>トップ20</b>	売上収益 <b>1兆7,778億円</b>
------------------------	--------------------------

実質的なCore営業利益<sup>1</sup>率  
**17%**

1. 実質的なCore営業利益率の定義は157ページを、調整表は158-159ページを参照ください。2. PTS（Probability of Technical Success、技術的成功確率）調整前ベースの増分を含みます（すなわち、当社が現時点では発生する可能性が低いと考えている技術的成功を含むベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標値と解釈されるべきではありません）。武田の発売済み製品およびパイプラインによる将来の実際の売上収益は異なる可能性があり、場合によっては大幅に異なる可能性があります。これは、臨床開発の結果が、安全性、有効性および製品の添付文書など多くの変数によって大幅に変わる可能性があるためです。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services（CMS）が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。さらに、製品が承認された場合の患者さん集団、競争環境、価格設定および保険償還などの商業上の要因の影響も不明です。スライド8に示したように、ベースケース（達成可能性があると考えている技術的マイルストーンに基づいて推定した売上収益）は、2019年度のベースラインと比較して1桁台前半の売上収益成長を見込んでいます。2019年度期初為替想定が2030年度売上収益に適用されています。

# 14のグローバルブランドによる大きな成長で、 2024年度までに80億米ドル以上の売上収益上乘せの機会



	2019年度売上収益		従来のピーク時 売上収益想定	新しいピーク時 売上収益想定 <sup>3</sup>
	(百万米ドル) <sup>2</sup>	対前年 (実質的)		
 Entyvio vedolizumab	3,189	+32.9%	40 – 50億米ドル	55 – 65億米ドル
 Gattex (Teduglutide (rDNA origin) for injection)	568	+21.7%	N/A	7 – 8億米ドル
 ALOFISEL	3	N/A	N/A	5 – 8億米ドル
 TAKHZYRO (lanadelumab-flyo) injection	627	+318%	N/A	18 – 22億米ドル
 NINLARO fixaxozimib capsules	712	+28.5%	15 – 20億米ドル	15 – 20億米ドル
 ALUNBRIG BRIGATINIB	66	+43.1%	10億米ドル	8 – 10億米ドル
長期見通し				
IMMUNOGLOBULIN	2,744	+7.2%	今後10年間に渡って“1桁台後半の年平均成長率”	
ALBUMIN/FLEXBUMIN <sup>1</sup>	617	+20.3%	今後10年間に渡って“1桁台半ばの年平均成長率”	
<b>14グローバルブランド合計</b>	<b>10,152</b>	<b>+21.7%</b>		

1. Albumin Glass、Flexbuminおよび献血アルブミンを含みます。

2. 米ドルでの表記は1米ドル107円で換算した参考値です。

3. 新しいピーク時売上収益想定は、開発リスクと規制リスクを調整したベースケースのシナリオと、そのような調整を行わないベストケースのシナリオの組み合わせに基づいています。

注：売上収益の絶対値は国際会計基準（IFRS）ベースの数字（財務ベース）、対前年比は実質的な成長率です。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services（CMS）が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

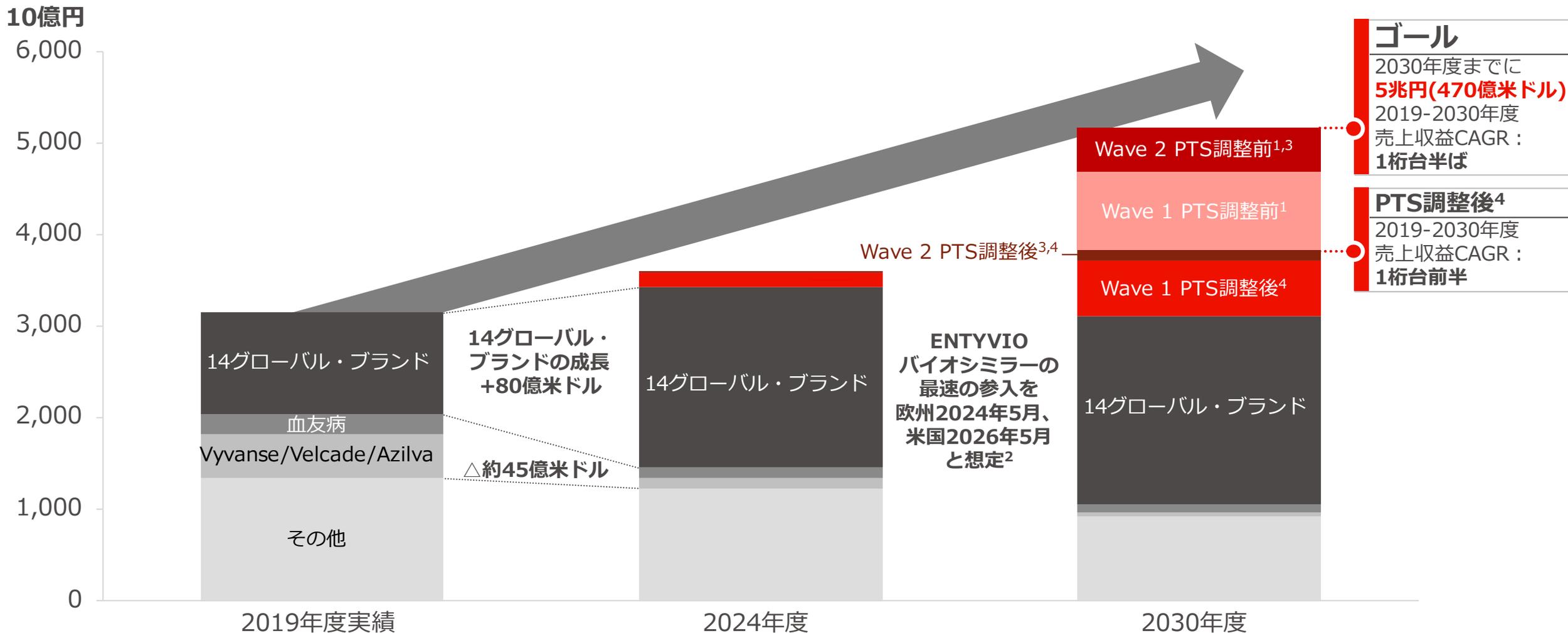
# 大きな市場機会を有するWAVE 1パイプライン



	パイプライン	適応	全市場 ポテンシャル <sup>2</sup>	武田の ピーク時売上高 ポテンシャル <sup>3</sup>		パイプライン	適応	全市場 ポテンシャル <sup>2</sup>	武田の ピーク時売上高 ポテンシャル <sup>3</sup>				
オンコロジー	mobocertinib (TAK-788)	Exon 20変異対応非小細胞肺がん1L	●●○	3 - 6億米ドル	ニューロ サイエンス	オレキシン プログラム <sup>4</sup>	ナルコレプシータイプ1 (NT1)	●●●●	30 - 40億米ドル (NT1)				
		Exon 20変異対応非小細胞肺がん2L	●●○				ナルコレプシータイプ1 (NT2)	●●●		10 - 20億米ドル (NT2 + IH)			
	pevonedistat (TAK-924)	高リスク骨髄異形成症候群 移植非適応急性骨髄性白血病	●●●●	4 - 8億米ドル			特発性過眠症 (IH)	●●○					
希少遺伝子疾患 および 血液疾患	TAK-007	びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (3L+)	●●●	7 - 15億米ドル		Eohilia <sup>5</sup> (TAK-721)	レノックス・ガストー症候群、 ドラベ症候群、その他の適応	●●●	非開示				
		慢性リンパ球性白血病 (3L+)	●●●					好酸球性食道炎		●●●	3 - 5億米ドル		
		濾胞性リンパ腫 (3L+)	●●●			TAK-999 <sup>6</sup>	α-1アンチトリプシン欠乏症における 肝疾患		●●●	非開示			
	TAK-609	ハンター-CNS (IT) <sup>1</sup>	●●○	<1億米ドル				ワクチン	TAK-003		デング熱の予防	●●●	7 - 16億米ドル
	maribavir (TAK-620)	移植時のサイトメガロウイルス感染 (再発難治&1L)	●●●	7 - 8億米ドル								PDT	
TAK-611	異染性白質ジストロフィー (IT)	●●○	3 - 4.5億米ドル	<p>最大5億米ドル      5-10億米ドル      10-30億米ドル      30億米ドル以上</p> <p>●●○      ●●○      ●●●      ●●●●</p>									
TAK-755	cTTP / iTTP、 鎌状赤血球症	●●●	10 - 15億米ドル										

1. ムコ多糖症2型市場の合計 (全身性+中枢性)  
 2. 市場ポテンシャルは利用可能なデータに基づく、アドレス可能な市場サイズに関する武田の最良の予想を示します。  
 3. PTS (技術的な成功確率) 調整前の数値は、現時点では発生する可能性が高いとは考えていない技術的な成功を含むベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標値と解釈されるべきではありません。  
 4. ナルコレプシータイプ1、ナルコレプシータイプ2、特発性過眠症以外のその他の希少適応は算出に含まれていません。  
 5. EohiliaはTAK-721のブランド名の案です。TAK-721は治療薬であり、FDAまたはその他の規制当局による使用は承認されていません。フル市場ポテンシャルは全てがブランド品に置き換わった場合の市場規模を示しています。  
 6. TAK-999は開発が加速しWave 1になる可能性があります。  
 注: U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

# 自律的かつ持続的な売上収益成長へ向けたポジション、 2030年度売上収益5兆円（470億米ドル）をゴールと設定<sup>1</sup>



1. PTS (Probability of Technical Success、技術的成功確率) を調整しない場合の売上収益増分を示しています。即ち、当該数値は現時点では発生する可能性が高いとは考えていない技術的成功を含む、ベストケースのシナリオを示したものであり、予測や目標とする数値と解釈されるべきではありません。2. 本グラフでは、各地域のデータ保護期間による独占期間満了時期に基づき、欧州では2024年5月、米国では2026年5月にENTYVIOのバイオシミラーが参入すると想定しています。当社は2032年に満了するENTYVIOに関連した特許を保有し、バイオシミラーの正確な参入時期について現時点では不確実性があります。3. 本グラフでは、第2相臨床開発段階にあるか、または早期投資が広範囲に行われている「開発加速」が行われている8つのWave 2プログラム (TAK-906、TAK-954、TAK-951、TAK-062、TAK-101、TAK-573、TAK-676、TAK-981) のみを含まず、仮にすべてのWave 2プログラムを対象とした場合、潜在的な売上収益貢献度は高くなる可能性があります。4. PTS調整後の数値は武田のベースケース、すなわち武田が発生する可能性が高いと考える技術的マイルストーンの達成に基づく売上収益予想を示します。

8 | 注：上記のチャートは、武田の2024年度・2030年度の売上収益の概念的な変化を示したものであり、独占販売権の消失による減収を補いつつ、2019年度実績と比較して1桁台の成長を達成する見込みを示しています。武田の発売済み製品およびパイプラインによる将来の実際の売上収益は異なる可能性があり、場合によっては大幅に異なる可能性があります。これは、臨床開発の結果が、安全性、有効性および製品の添付文書など多くの変数によって大幅に変わる可能性があるためです。U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。さらに、製品が承認された場合の患者さん集団、競争環境、価格設定および保険償還などの商業上の要因の影響も不明です。2019年度期初為替想定が2024年度・2030年度売上収益に適用されています。CAGR：年平均成長率

# 本日のスピーカー



**クリストフ・  
ウェバー**  
代表取締役社長 CEO



**アンディー・プランプ**  
リサーチ&デベロップメント  
プレジデント



**ラモナ・セケイラ**  
US ビジネスユニット  
プレジデント &  
グローバルポートフォリオ  
コマースライゼーション  
プレジデント



**マイク・ニーダム**  
グローバルプロダクト&  
ローンチ ストラテジー  
TAK-721グローバル  
プログラムリード



**ラジーヴ・  
ヴェンカヤ**  
グローバルワクチン  
ビジネスユニット  
プレジデント

## Q&A対応者



**コスタ・  
サルウコス**  
チーフ フィナンシャル  
オフィサー



**テレサ・ビデッティ**  
グローバルオンコロジー  
ビジネスユニット  
プレジデント

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	<b>革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目</b> リサーチ&開発プレジデント、アンディー・プランク
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	<b>ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築</b> USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマースライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	<b>TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性</b> グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	<b>TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン</b> グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	<b>Q&amp;Aセッション</b>
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



革新的な医薬品を患者さんに届ける  
我々のコミットメントを追求  
厳選されたウェーブ1プログラムに注目

アンディー・プランプ  
リサーチ&デベロップメント、プレジデント



Better Health, Brighter Future

# 患者さん中心でサイエンス・ファーストのR&Dエンジンを持つ、 バリュー（価値観）に基づいたグローバルバイオフーマ



## 研究開発のフォーカス

### 革新的なバイオフーマ



### 革新的なパイプライン

- 12のウェーブ1新規候補物質  
5プログラムがBTD、3プログラムがFTD、1プログラムが先駆け審査指定
- 約30のウェーブ2  
新規候補物質

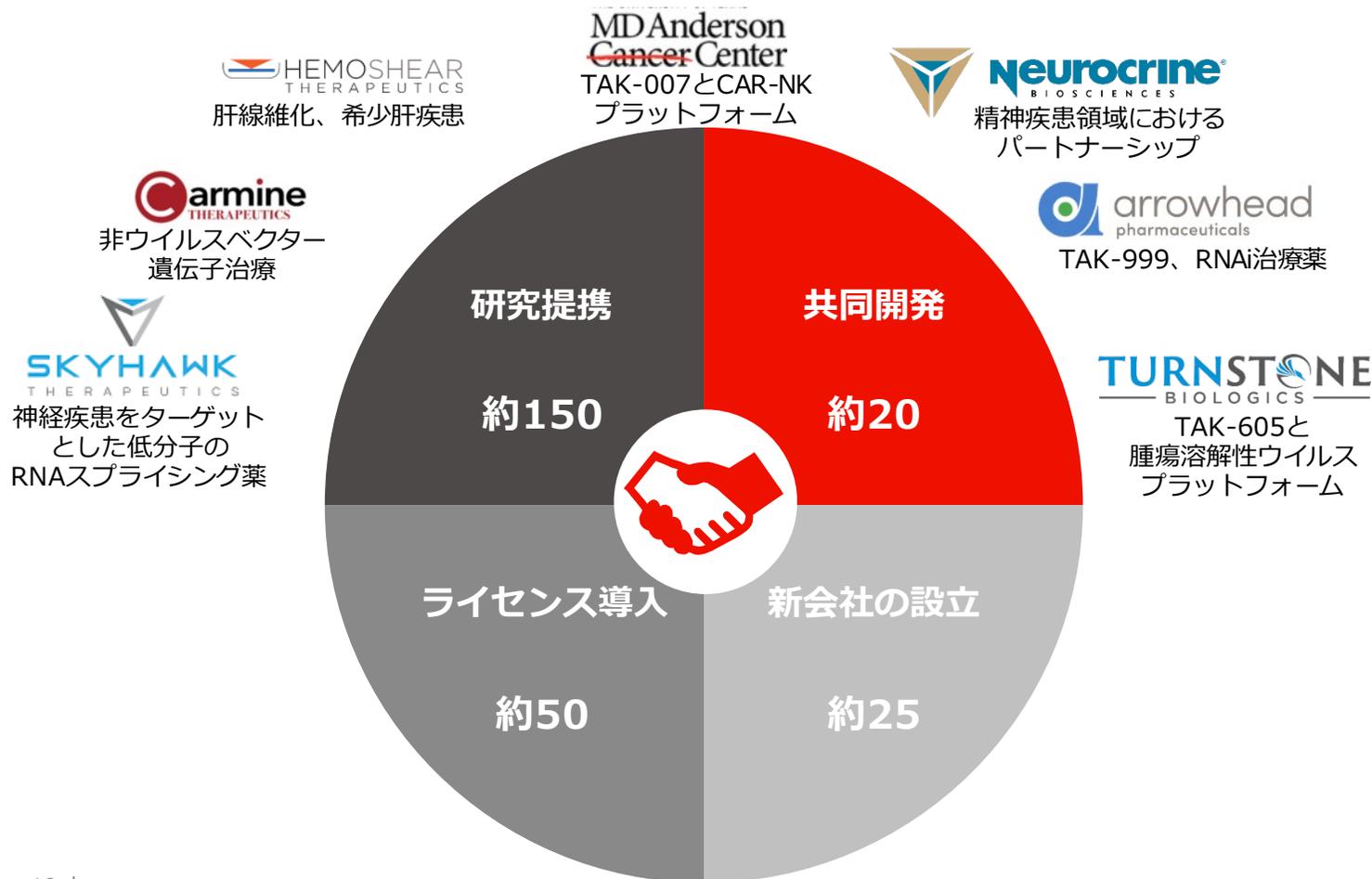
### 力強いパートナーシップモデル

- 当社研究所は、由来の内外を問わず、イノベーションにアクセスできるデザイン
- 持続可能な将来のために  
新規メカニズムと能力に投資

# 世界水準の当社研究所とパートナーのネットワークを融合することによりイノベーションへアクセス



## 2019年度と2020年度における 厳選された新規提携



- イノベーションへのアクセス
- リスクの共有
- キャパシティの拡大

2019年度・2020年度  
一時金投資額  
約10億米ドル



# 全てのウェーブ1品目は直近に主要マイルストーンを有する



開発ステージ	プログラム	適応症	次のマイルストーン	予定される タイミング
 <b>規制上の マイルストーン (申請・承認)</b>	TAK-721	好酸球性食道炎	承認	2020年度Q4 <sup>1</sup>
	TAK-003	デング熱の予防	申請	2020年度Q4
	TAK-609	ハンター症候群（中枢性）	申請	2020年度Q4
	mobocertinib	エクソン20挿入変異を有する非小細胞肺癌（2L）	申請	2020年度Q4
 <b>ピボタルデータ 読み出し</b>	maribavir	移植後のサイトメガロウイルス感染症	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q3
	CoVIg-19	COVID-19治療	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q4
	pevonedistat	高リスク骨髄異形成症候群	臨床第3相試験データ読み出し	2020年度Q4
	TAK-755	先天性血栓性血小板減少性紫斑病	臨床第3相試験データ読み出し	2022年度H1
	TAK-611	異染性白質ジストロフィー	臨床第2相試験 <sup>2</sup> データ読み出し	2022年度H2
 <b>ピボタル 試験開始</b>	soticletat	発達性およびてんかん性脳症	臨床第3相試験開始	2021年度Q1
	TAK-007	CD19陽性 血液がん	臨床第2相試験 <sup>2</sup> 開始	2021年度H1
	TAK-994	ナルコレプシー	臨床第3相試験開始	2021年度H2

15 | 1. 2020年度Q4または2021年度Q1の早期に承認の見込みです。  
2. ピボタル試験の可能性がります。

# 本日は、ウェーブ1パイプラインの臨床データと市場性を関連付けた初めてのIRイベント



本日のイベント

パート1

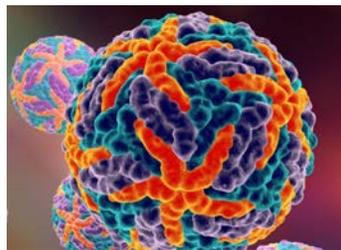
ウェーブ1市場機会  
投資家イベント

TAK-721



好酸球性食道炎に対する  
米国での承認申請

TAK-003



流行地域における  
デング熱ワクチンの  
承認申請



開発状況

Wave 1 パイプライン

市場性



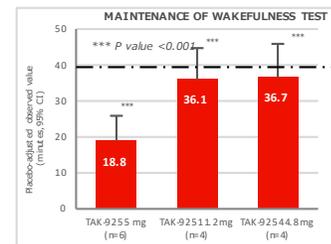
補足資料

2021年4月6日<sup>1</sup>

パート2

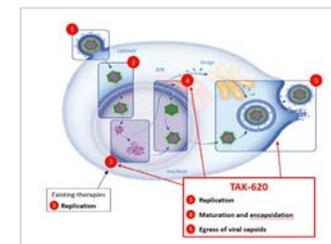
ウェーブ1市場機会  
投資家イベント

オレキシニアゴニスト



TAK-994 (経口)・TAK-925 (静注)  
ナルコレプシータイプ1および  
その他の睡眠障害を対象とする  
オレキシニアゴニスト

maribavir



移植後の治療抵抗性/難治性  
サイトメガロウイルス感染 (2L)  
米国承認申請

オンコロジー  
アップデート



# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	<b>ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築</b> USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	<b>TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性</b> グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	<b>TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン</b> グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	<b>Q&amp;Aセッション</b>
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



# ENTYVIOケーススタディ： 患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築

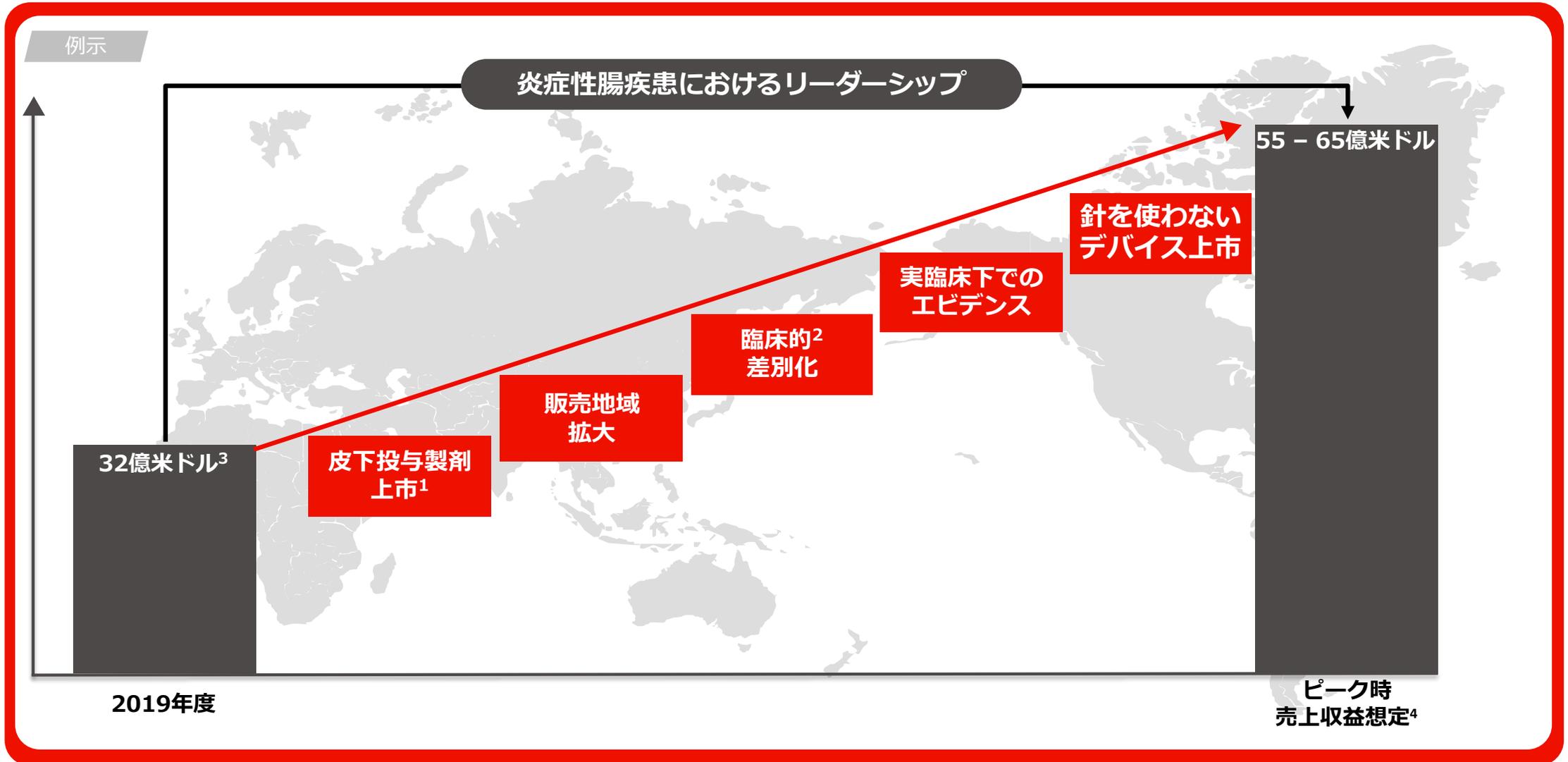


ラモナ・セケイラ

USビジネスユニット プレジデント &  
グローバル ポートフォリオ コマーシャライゼーション プレジデント

Better Health, Brighter Future

# ENTYVIO : 炎症性腸疾患治療剤の標準治療



1. 各国の規制当局の承認によります。

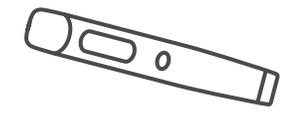
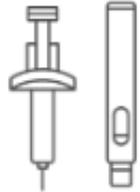
2. 中等度から重症の活動性潰瘍性大腸炎患者さんを対象とした、ENTYVIOとadalimumabの臨床寛解率を比較した直接比較試験に基づきます。

3. 米ドルでの表記は1米ドル107円で換算した参考値

4. PTS調整後の数値は武田のベースケース、すなわち武田が発生する可能性が高いと考える技術的マイルストーンの達成に基づく売上収益予想を示します。

注：U.S. Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) が2020年11月20日に発表したMost Favored Nation Model暫定最終規則により受けうる潜在的な影響は現在精査中であり考慮されていません。

# ENTYVIOの潜在的 가능성을最大化するためのグローバルで多面的な成長戦略



## 皮下投与製剤 上市<sup>1</sup>

- 炎症性腸疾患患者さんのニーズに応える
- 皮下投与か静脈注射かの選択肢は、最適な投与経路（RoA）を選んで頂くための柔軟性を提供
- **VISIBLE**試験

## 販売地域拡大 例：中国

- 武田は中国の**炎症性腸疾患市場の発展**に投資
- 中国でピーク時に約**6.7万人**の患者さんに**ENTYVIO**を投与頂くという潜在的な機会を捉える
- 2030年度にクローン病で36%、潰瘍性大腸炎で49%のピーク時における中国市場シェア

## 臨床的差別化

- VARSITY<sup>2</sup>試験
- 移植片対宿主病（GvHD）
- 回腸囊炎
- 小児臨床第3相試験プログラム
- 長期安全性（PASS試験）
- Explorer試験（クローン病自然経過）
- Verdict試験（潰瘍性大腸炎 T2T<sup>3</sup>）

## 実臨床下での エビデンス

- Victory試験
- Evolve試験
- Versify試験

## 針を使わない デバイス上市 (2023年発売予定)

- Portal Instruments社とのパートナーシップによる、**ENTYVIO**独占的かつ**炎症性腸疾患製品**では初の**ジェットインジェクター**（針を使わない）技術を搭載

1. 各国の規制当局の承認によります

2. 中等度から重症の活動性潰瘍性大腸炎患者さんを対象とした、ENTYVIOとadalimumabの臨床寛解率を比較した直接比較試験に基づきます

3. T2T：Target-to-treat（目標達成に向けた治療）。

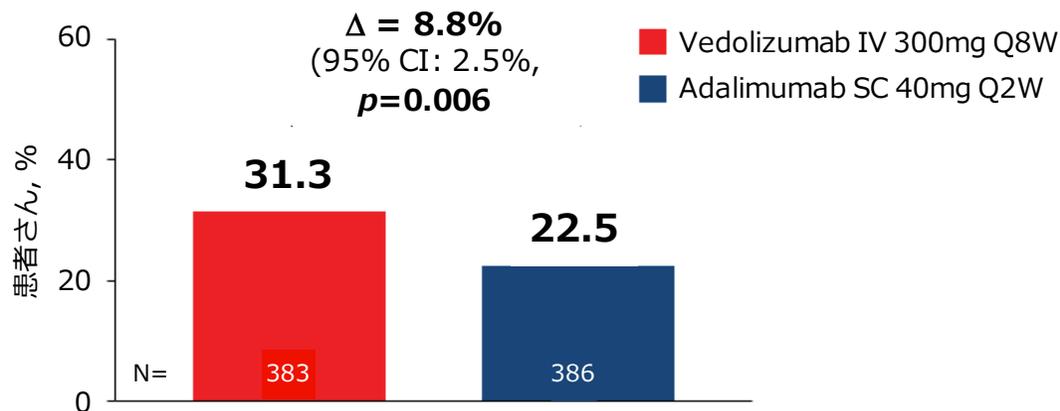


## 競争力のあるポジショニング

### VARSLITY : 炎症性腸疾患（クローン病）における初の直接比較臨床試験

- 主要評価項目である52週目の寛解において、ベドリスマブはアダリムマブよりも優れていた

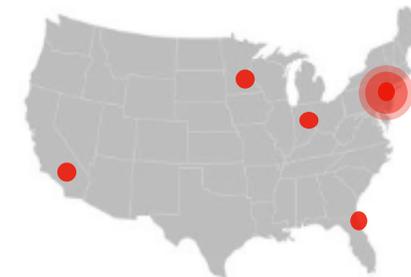
#### 臨床的寛解 (主要評価項目)



## 実臨床下でのエビデンス

### VICTORY : 1,000人以上のベドリスマブでの治療を受けた潰瘍性大腸炎またはクローン病の患者さんを含む最大の実臨床下でのデータ

- 日常診療での潰瘍性大腸炎の治療において、ベドリスマブは抗TNF $\alpha$ 抗体製剤より高い寛解率



### ベドリスマブとTNF-アンタゴニスト治療の相対有効性 (IPW ATE match set)

Outcome	Comparison groups	Hazard ratio (95% CI)
Clinical remission <sup>b</sup>	VDZ vs overall	1.65 (1.23-2.22)
	VDZ vs IFX	1.81 (1.23-2.68)
	VDZ vs SC TNF antagonists <sup>c</sup>	1.69 (1.09-2.63)
	VDZ vs TNF-antagonist exposed	1.69 (1.51-2.70)
	VDZ vs TNF-antagonist naïve	1.68 (1.16-2.43)

0.5      5  
Favors TNF antagonist      Favors VDZ

# 武田のパイプラインに命を吹きこむ

人生を変えうる治療剤をお届けするためのグローバルな機能

## 卓越した上市



患者さんの  
治療経過と  
診断



データ、  
インサイト  
と分析



患者さん  
向け  
サービス



価値に  
基づく  
パートナー  
シップ



デジタル



エビデンス  
生成

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	<b>TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性</b> グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



# TAK-721 Deep Dive : 好酸球性食道炎を適応症とした初のFDA承認治療薬となる可能性



マイク・ニーダム

グローバルプロダクト&ローンチストラテジー  
TAK-721 グローバルプログラムリード

Better Health, Brighter Future

# KEY TAKEAWAYS:

## EoE (Eosinophilic Esophagitis; 好酸球性食道炎) とTAK-721



1

**EoEにおける高い  
アンメットニーズ、  
求められるリーダーシップ**

- QoLに影響を及ぼし、長期的な線維化につながる可能性のある慢性炎症性疾患
- 罹患者数および有病者数が増加しており、FDAにより承認された治療薬はない

2

**TAK-721はEoEに対して  
特異的にデザイン**

- ブレークスルーセラピー指定を受け、申請用の試験が完了
- NDAを提出、承認されれば初めてのFDA承認薬となる

3

**TAK-721発売に向けた  
武田の力強い基盤**

- 消化器疾患領域の製品の販売実績を有する業界リーダー
- 2021年度上期に米国発売予定

# EoE（好酸球性食道炎）とは？



EoEは、食道における慢性炎症性免疫介在性の希少疾患であり、成人および小児において、しばしば“dysphagia”（嚥下障害）を引き起こす

未治療のまま病態が進行すると、線維性疾患、食道狭窄および関連する食物嵌頓（食物の詰まり）に進行する可能性がある

生検により、食道内の好酸球数が高値（ $>15/\text{hpf}$ ）であることを確認して診断される



# EoE患者さんの日常はどのようなものか？



身体的な  
**疼痛**



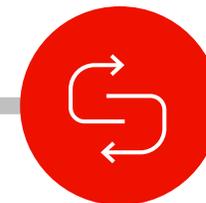
**栄養補給**の維持



社会的な  
**孤立**

何日も何週間も何の症状がない状態が続くこともありますが、常にまた喉が詰まるかもしれないと考えて生活しているような気がします。食べ物のことを四六時中考えなくて済むように戻りたいです。

# 疾患経過には複数の診療科が関わり、診断までに長い時間を要する



## EoE前診断 (6か月)

### 治療:

- 50%は未治療
- 34%がPPIで治療

### 併発疾患:

- 30%にアレルギー疾患がある
- 45%にGERDや嚥下障害がある

## EoE診断手順

- 72%が内視鏡検査で診断
- 25%は内視鏡検査を受けたことがあるが、生検を受けていない

## 初回EoE診断

- 62%が消化器内科医によって診断
- 8%がアレルギー専門医によって診断

## 治療開始

- 77%は18カ月以内に治療を受ける
- 治療した患者さんの63%は消化器内科医によって治療開始

## 治療継続

- 治療を開始後、12カ月間で6.5カ月間（平均）治療を継続

# EoEは比較的新しく稀な疾患であるが、有病者数は増加中



米国の約**2,000人**に  
**1人**がEoEに罹患<sup>1-5</sup>している



**新たなエビデンス**として、  
微生物叢などの環境因子、  
微生物に影響する若年期  
イベントおよびその他の  
因子が、EoEの有病者数の  
増加に寄与している可能性  
を示唆<sup>1,10-14</sup>



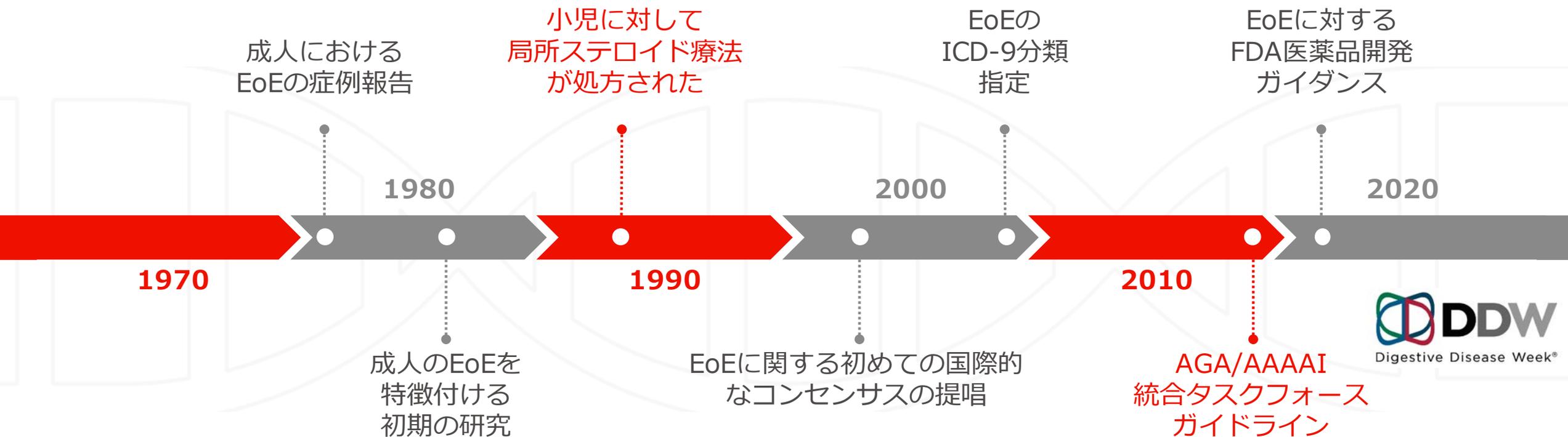
EoEはあらゆる世代で発  
症しうるが、主に50歳未  
満の成人および青年で好  
発し、男性では2倍の頻度  
で見られる<sup>4,6-9</sup>

1. O'Shea KM, Aceves SS, Dellon ES, et al. *Gastroenterology*. 2018;154(2):333-345.
2. Dellon ES, Jensen ET, Martin CF, et al. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 2014;12(4):589-596.
3. Dellon ES. *Gastroenterol Clin North Am*. 2013;42(1):133-153
4. Dellon ES. *Gastroenterol Clin North Am*. 2014;43(2):201-218.
5. Spergel JM, Book WM, Mays E, et al. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2011;52(3):300-306.

6. Muir AB, Brown-Whitehorn T, Godwin B, et al. *Clin Exp Gastroenterol*. 2019;12:391-399.
7. Lucendo AJ, Molina-Infante J, Arias Á, et al. *United European Gastroenterol J*. 2017;5(3):335-358.
8. Shaheen NJ, Mukkada V, Eichinger CS, et al. *Dis Esophagus*. 2018;31(8):1-14.
9. Mansoor E, Cooper GS. *Dig Dis Sci*. 2016;61(10):2928-2934.
10. Dellon ES, Hirano I. *Gastroenterology*. 2018;154(2):319-332.e3.

11. Furuta GT, Katzka DA. *N Engl J Med*. 2015;373(17):1640-1648.
12. Harris JK, Fang R, Wagner BD, et al. *PLoS One*. 2015;10(5):e0128346.
13. Carr S, Chan ES, Watson W. *Allergy Asthma Clin Immunol*. 2018;14(Suppl 2):58.
14. Alexander ES, Martin LJ, Collins MH, et al. *J Allergy Clin Immunol*. 2014;134(5):1084-1092.

# EoEに対する学術的な関心、期待、研究活動は増加している



患者さんは「私は問題なく食べています」と言いますが、肉を食べるのをやめたのは、「また喉が詰まるのではないか」という恐怖心があるからです。....だから、病気が良くなったのではなく、食べ物を避けているために症状が出ないだけなのです。

Dr Ikuo Hirano, Professor of Medicine at Northwestern University Feinberg School of Medicine

# 現在の米国での治療アプローチは限定的



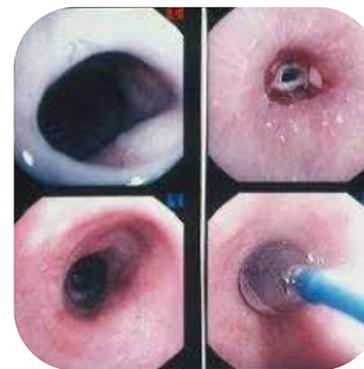
## 患者さんによる適応行動



## 徹底的な食事管理



## 食道の拡張



## 適応外使用による治療



プロトン  
ポンプ阻害薬



嚥下  
吸入ステロイド



自家製  
「スラリー」



配合  
調剤

# EoEにおけるポテンシャルについてのまとめ

- EoEの有病者数および罹患者数の増加
  - 質の高い治療選択肢への限定的なアクセス
  - 疾患マネジメントの一貫性に課題があるものの、医療従事者からの高い関心と期待を集める
  - 患者さんの認知度と啓蒙レベルが低く、診断に長い時間を要する
- 
- リーダーシップの必要性



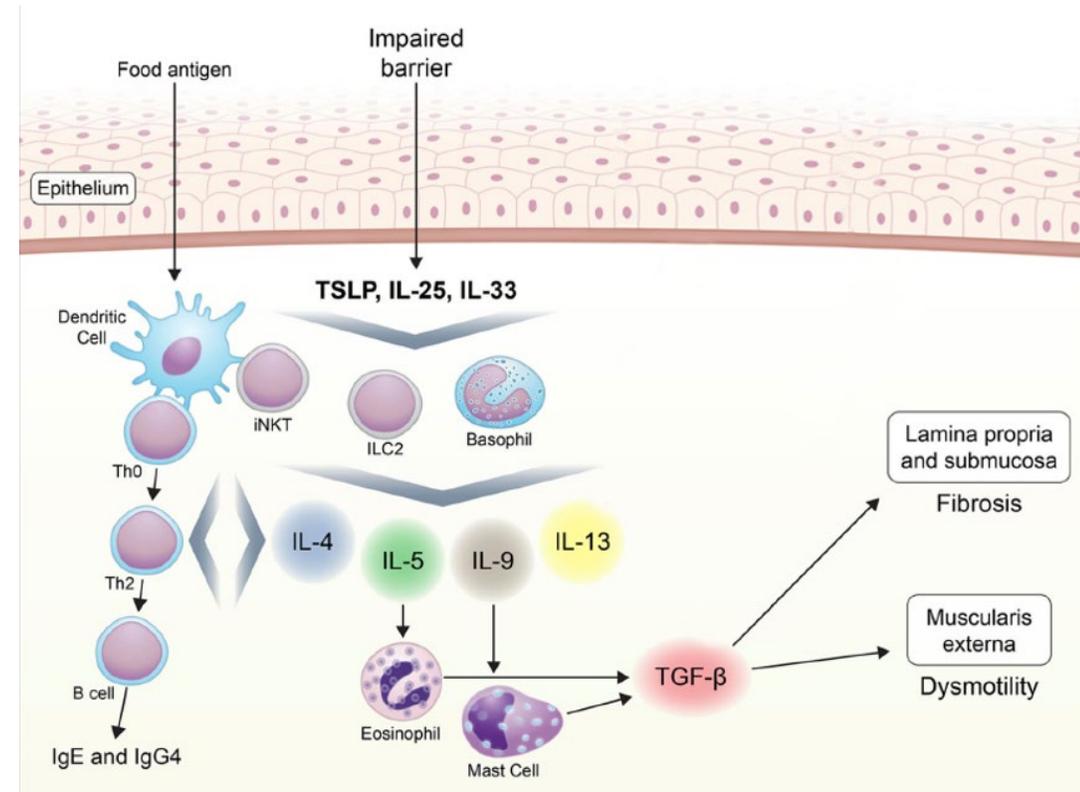
# TAK-721はEoEのアンメットニーズの解決策になりうる



食道の炎症を特異的に標的とした、局所作用性の経口ブデゾニド粘稠性懸濁液

TAK-721は、強力な局所抗炎症作用と糖質コルチコイド作用を有する合成第2世代非ハロゲン化コルチコステロイド

TAK-721は、複数の細胞種に対し、幅広い阻害活性を有している



# EoEに対する先駆的な臨床開発プログラムを FDAと相談しながら推進



1

EoEにおける  
オーファンドラッグ指定  
(2006年)

1

EoEにおける  
ブレイクスルーセラピー指定  
(2016年)

1

EoEに対する  
米国新薬承認申請 (2020年)

1

FDAと合意した、EoEに特  
化した最大規模の臨床第2相  
試験および臨床第3相試験の  
包括的開発プログラム  
(完了済み)

1

EoEに特化したPatient  
Reported Outcome toolを  
開発・FDAと検証 -  
Dysphagia Symptom  
Questionnaire (DSQ)

1

1つのプログラムで青年お  
よび成人を対象とし、  
組織学的、症状および内視  
鏡的な評価項目を含めた  
臨床第3相試験プログラム

# ORBIT1試験： 組織学的所見および症状に関する複合主要評価項目の達成

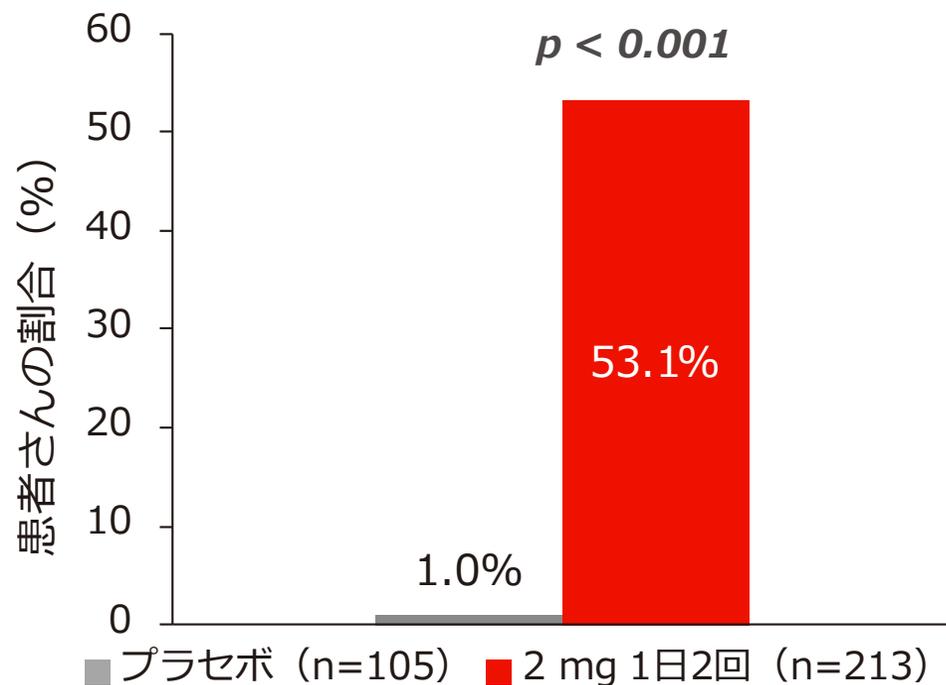


2019年10月テキサス州で開催されたACGのプレジデンシャル・プレナリーで発表された結果

## 12週時点での組織学的改善率

(生検組織の好酸球が強拡大視野あたりピークで6個以下)

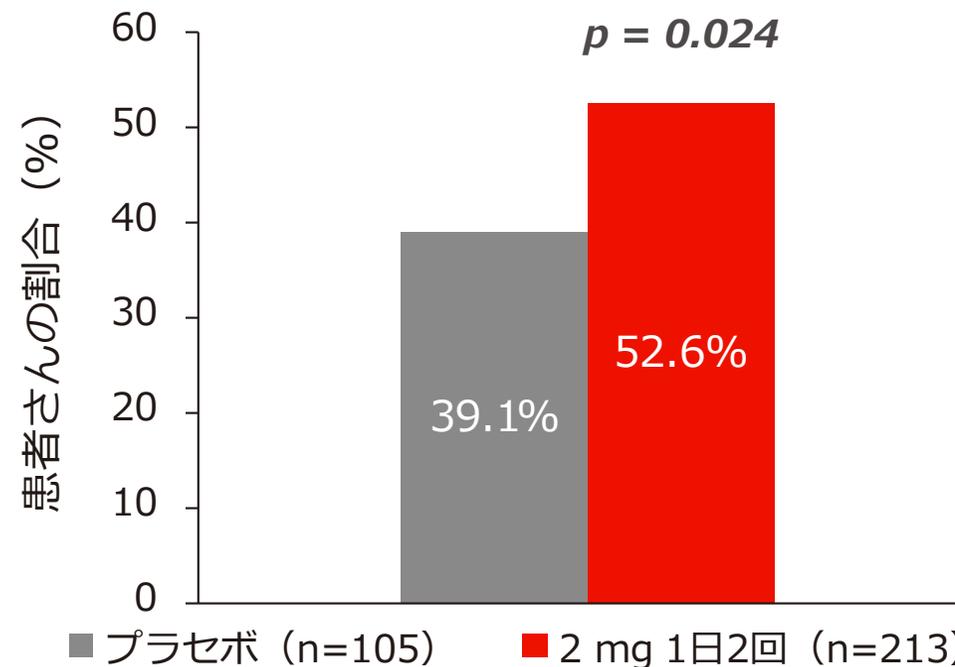
有意水準：0.05



## 12週後の症状改善率

(DSQスコア<sup>1</sup>の30%以上の低下)

有意水準：0.05



1. DSQスコア：嚥下困難症状質問票患者報告アウトカムスコア、eos/hpf:内視鏡生検からの強拡大1視野あたりの好酸球ピーク値  
ACG：米国消化器学会

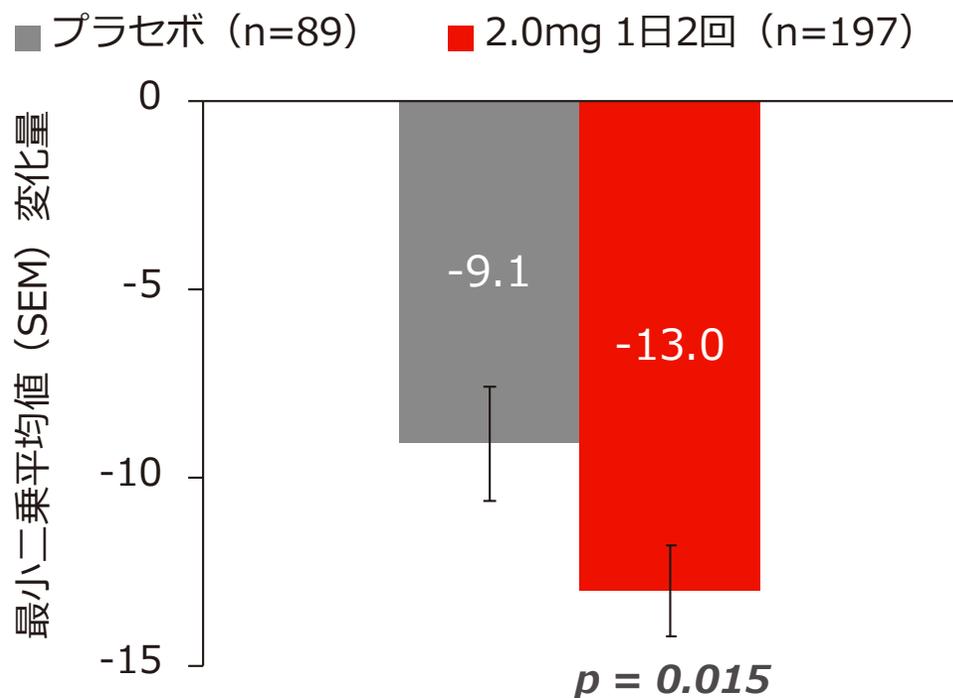


# 主要な副次評価項目を達成



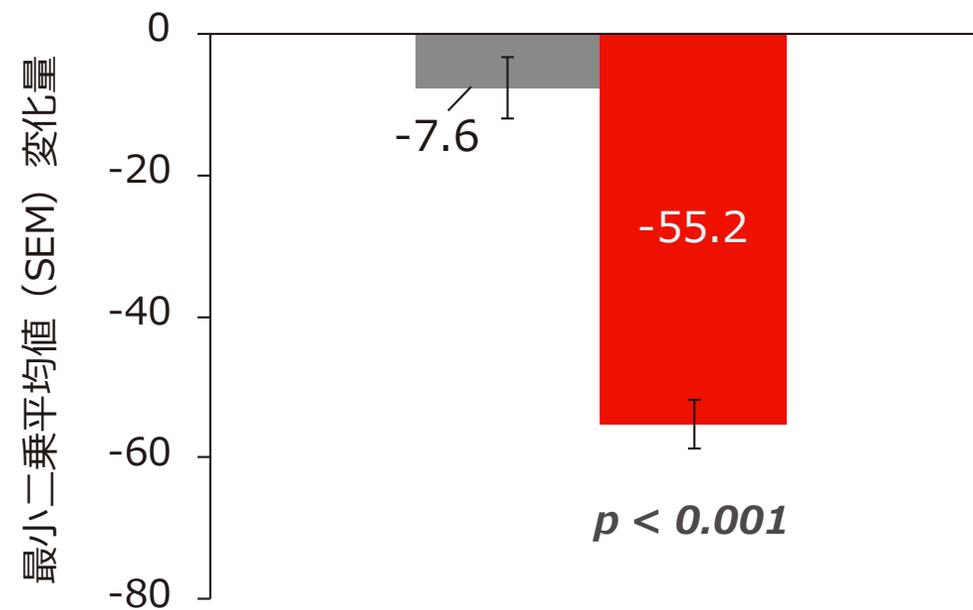
## DSQスコアの変化 (12週時点のベースラインからの変化量)

有意水準 : 0.05



## 総ピーク好酸球数の変化 (12週時点のベースラインからの変化量)

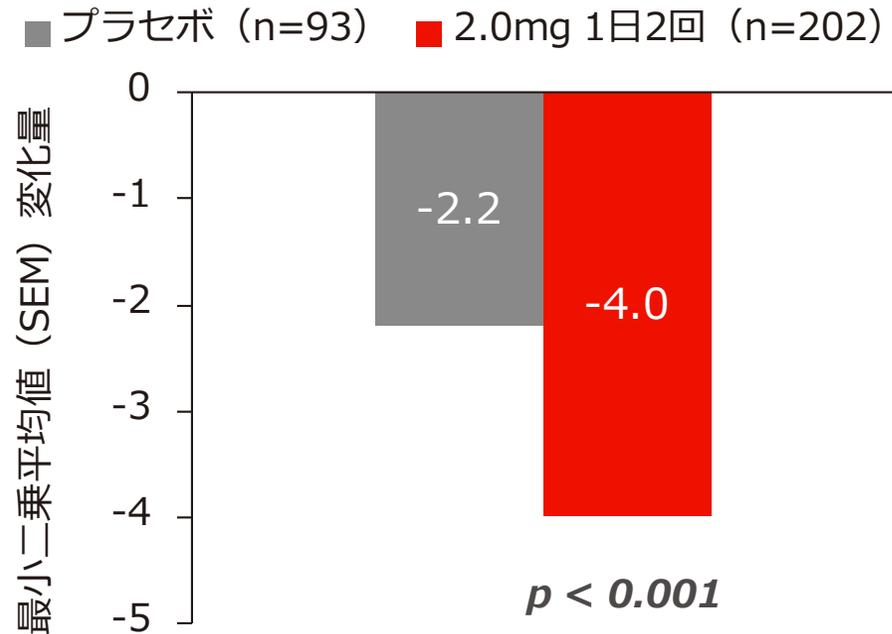
■ プラセボ (n=92) ■ 2.0mg 1日2回 (n=201)



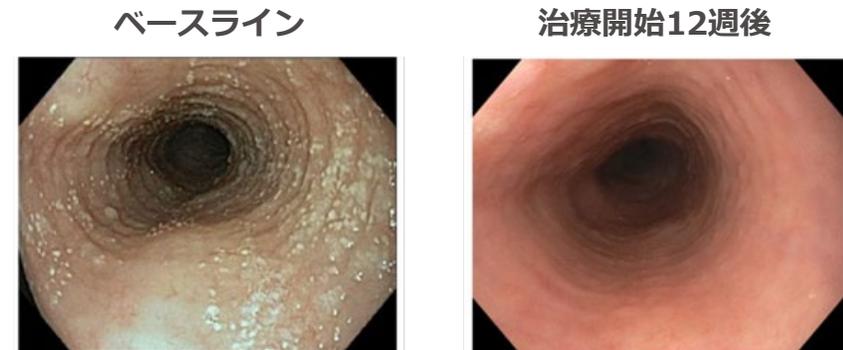
# 12週時点の内視鏡所見（EREFs）に関する評価項目



## 総EREFsスコアの変化量 ベースラインから治療開始12週目まで



## 当該試験（ORBIT 1試験）における患者さんの例



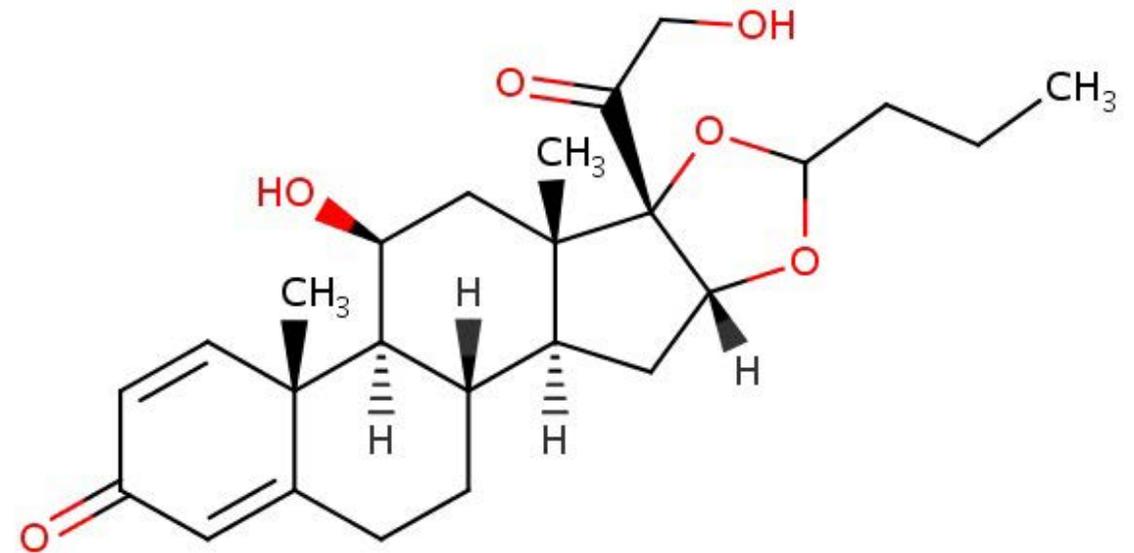
# ブデソニドの既知の安全性プロファイルと一致した安全性結果



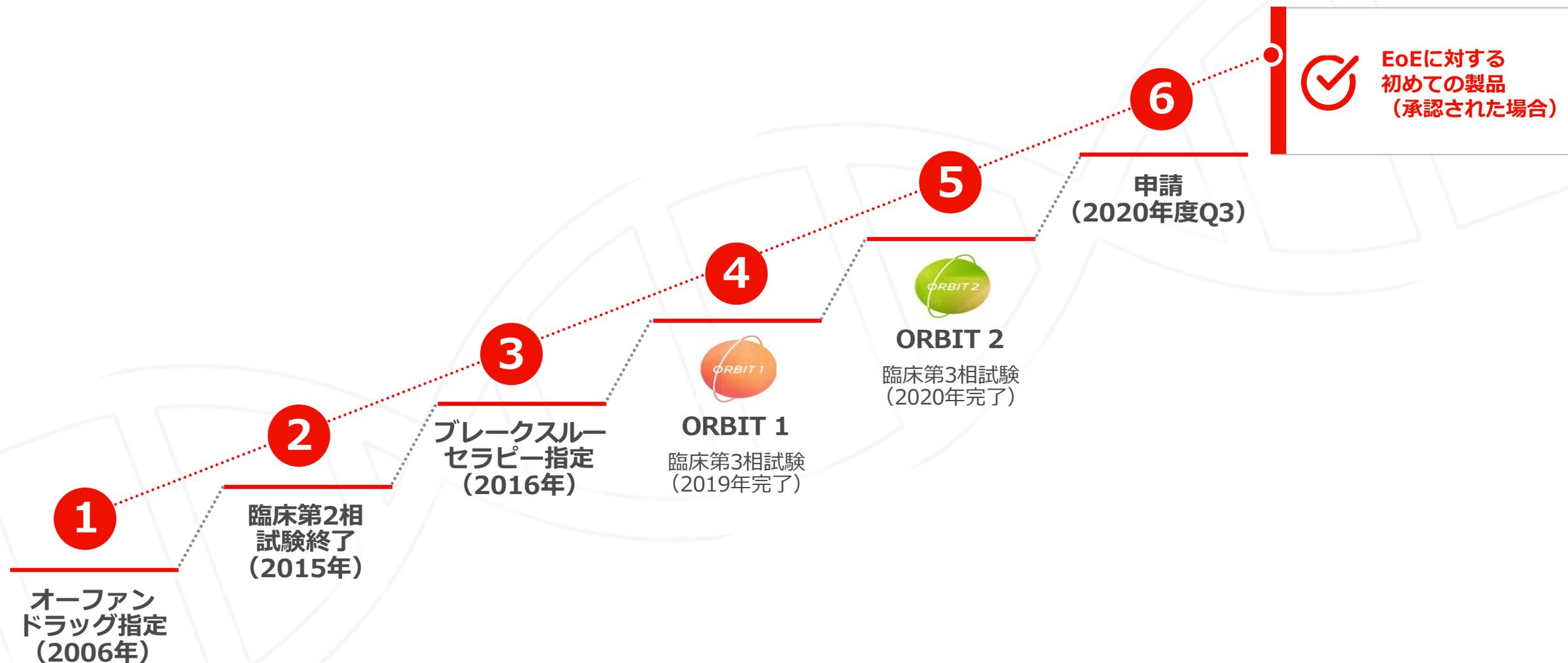
TAK-721の忍容性は良好

試験治療下で発現した有害事象（TEAE）は、  
12週間後にTAK-721群（61.0%）と  
プラセボ群（61.0%）で同程度

報告されたTEAEのほとんどは、  
軽度または中等度



# 米国における初のEoE承認治療薬に向けたロードマップ



# TAK-721はEoEにおける初のFDA承認製品として、 1次治療の標準治療薬となるポテンシャルをもつ



1次治療



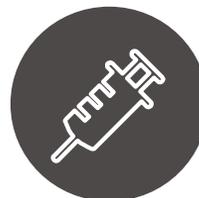
## TAK-721

初のFDA承認製品  
(承認された場合)



生物学的製剤治療  
現在試験中

後期治療





## 広範な 患者さんアクセス

ペイヤーに示す**強力な価値提案**

現在、多くの患者さんが適応外治療のために**治療費を全額自己負担**している

**可能な限り多くの患者さんが、**  
TAK-721に**アクセス**できるようにする方針

TAK-721へのアクセスを可能にする  
**サービスとソリューション**

# TAK-721ブランドの上市準備が整ったUSビジネスユニット



 **Eohilia**  
(budesonide oral suspension) 2mg

# TAK-721ブランドの上市準備が整ったUSビジネスユニット



  
(budesonide oral suspension) 2mg

## 医療従事者

### 販売体制

- メディカル、ソートリーダー・リエゾン、および販売担当者を採用済。EoE領域で発売開始できる体制を既に構築

### 疾患教育

- 「[SeeEoE.com](http://SeeEoE.com)」の開始によるEoEの認知度を向上させる新たなデジタルアプローチの導入

### KOLエンゲージメントおよび学会でのプレゼンス

- ACGでの疾患認知度向上の取り組み、並びにコマーシャルおよびメディカルのAdvisory Boardの開催（実施済）

## 患者さん

### 患者さんの認知度

- デジタルチャネルを通じた患者さん中心の疾患啓発キャンペーンの開始

### 製品アクセス

- 患者さんサービスおよびアクセスの計画が、適切に整備されることを確認

### 発売する剤形

- 発売に向けた新剤形の開発

### 患者さん支援団体とのパートナーシップ

- 教育およびサポートの格差を把握し、診断および標準治療の向上を図る

# TOGETHER. BEYOND.



炎症性腸疾患における  
リーダーシップ

 Entyvio®

 Lialda™

 PENTASA®

短腸症候群における  
リーダーシップ

 Gattex®

運動性および酸関連疾患  
におけるリーダーシップ

 motegrity™

 amitiza

 DEXILANT

 Takecab®

EoEにおける  
リーダーシップ

 Eohilia

# EoEに対する初のFDA承認治療法でGI領域のリーダーシップを強化するポテンシャルをもつ



1

EoEにおける高い  
アンメットニーズ、  
求められるリーダーシップ

2

TAK-721はEoEに対して  
特異的にデザイン

3

TAK-721発売に向けた  
武田の力強い基盤

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&デベロップメントプレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマーシャライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	Q&Aセッション
		付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要



# TAK-003 Deep Dive : デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン



ラジーヴ・ヴェンカヤ  
グローバルワクチンビジネスユニット プレジデント

Better Health, Brighter Future

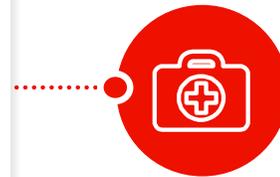
# デング熱はグローバルヘルスに対する脅威Top 10の1つ

World Health Organization, 2019<sup>1</sup>



## > 39億人

世界でデング熱の  
危険にさらされている人口<sup>2</sup>



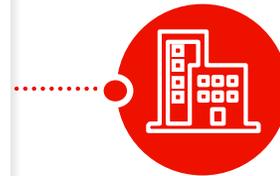
## 3.9億人

毎年の推定感染者数<sup>2</sup>



## > 100カ国

アジア・中南米を中心とした流行国<sup>2</sup>



流行地域<sup>2</sup>における小児および成人の  
入院および死亡の主因

48 | 1. World Health Organization (WHO). Top ten threats to global health in 2019. <https://www.who.int/news-room/spotlight/ten-threats-to-global-health-in-2019>  
2. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/dengue-and-severe-dengue>

# デング熱は世界で最も急速に広がっている 蚊媒介性ウイルス疾患<sup>1</sup>



デングウイルス (DENV) には4種 (1-4型) の血清型があり、  
ネッタイシマカおよびヒトスジシマカにより媒介される<sup>2</sup>

デングウイルスの全4種の血清型ウイルスが随時流行しているが、  
その流行している血清型の特定は難しい<sup>3</sup>

デングウイルスの2回目感染時に初回感染時とは異なる  
血清型ウイルスに感染した場合は、より重症化する可能性がある<sup>4</sup>

マラリアなどその他の蚊媒介感染症とは異なり、デング熱の標的  
治療法は存在しない<sup>5,6</sup>

1. WHO. [https://www.who.int/images/default-source/departments/ntd-library/denque/infographics-and-illustrations/denque-infographic.png?sfvrsn=ae8ce604\\_8](https://www.who.int/images/default-source/departments/ntd-library/denque/infographics-and-illustrations/denque-infographic.png?sfvrsn=ae8ce604_8)  
2. WHO. Promoting dengue vector surveillance and control <https://www.who.int/activities/promoting-dengue-vector-surveillance-and-control>  
3. Mol Biol Evol. 2010 Apr; 27(4): 811-818. Epidemic Dynamics Revealed in Dengue Evolution: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2877535/>

4. J R Soc Interface. 2013 Sep 6; Interactions between serotypes of dengue highlight epidemiological impact of cross-immunity. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3730691>  
5. WHO. Malaria. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/malaria>  
6. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/denque-and-severe-denque>

# デング熱の地理的範囲は拡大している



流行地域の人口増加により、  
2080年までに60億人以上が  
デング熱のリスクに  
さらされる可能性がある<sup>1</sup>

\*中所得国の1人あたりの国民総所得を1,036～12,535米ドル<sup>3</sup>と定義。  
低中所得国と高中所得国に分類される国が含まれる。低所得国におけるデング熱影響に関するデータは限られる

デング熱の多くは、熱帯・亜熱帯気候の都市部や準都市部で発生。グローバル化、都市化、気候変動が感染症の増加に寄与<sup>1</sup>

デング熱症例の90%以上が中所得国で発生<sup>2,3,4</sup>

- ブラジル：200万症例、2019年<sup>5</sup>
- フィリピン：約40万症例、2019年<sup>6</sup>

COVID-19流行国へのさらなる負担<sup>7</sup>

1. Messina, J.P., Brady, O.J., Golding, N. et al. The current and future global distribution and population at risk of dengue. *Nat Microbiol* 4, 1508–1515 (2019). <https://doi.org/10.1038/s41564-019-0476-8>  
2. Cases: Supplement to Stanaway JD, Shepard DS, Undurraga EA, et al. The global burden of dengue: an analysis from the Global Burden of Disease Study 2013. *Lancet Infect Dis* 2016; published online Feb 10. [http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099\(16\)00026-8](http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099(16)00026-8). Accessed Jan 14, 2019.  
3. Income Classification: World Bank: List of Economies (June 2018). <https://datahelpdesk.worldbank.org/knowledgebase/articles/906519-world-bank-country-and-lending-groups>

4. 2018 World Development Indicators. World Bank. <https://databank.worldbank.org/data/reports.aspx?source=2&series=NY.GDP.MKTP.CD&country=#>.  
5. WHO. <https://www.who.int/news/item/21-11-2019-who-region-of-the-americas-records-highest-number-of-dengue-cases-in-history-cases-spike-in-other-regions>  
6. WHO. [https://www.who.int/docs/default-source/wpro---documents/emergency/surveillance/dengue/dengue-20201105.pdf?sfvrsn=fc80101d\\_42](https://www.who.int/docs/default-source/wpro---documents/emergency/surveillance/dengue/dengue-20201105.pdf?sfvrsn=fc80101d_42)  
7. Harapan H, Ryan M, Yohan B, et al. Covid-19 and dengue: Double punches for dengue-endemic countries in Asia [published online ahead of print, 2020 Sep 18]. *Rev Med Virol*. 2020;e2161. doi:10.1002/rmv.2161

# デング熱の感染急拡大がもたらす影響 (医療機関、家族)



## 感染者増加による医療機関への影響

- 地域により1カ月で400%以上の感染者増<sup>1</sup>
- 数日間で数千人が入院する可能性<sup>2</sup>
- 一般/治療病棟をデング熱治療病棟に転換<sup>1</sup>

## 感染者家族のデング熱治療費 による経済的負担は甚大になりうる

- 流行国で入院した場合の1人当たりの平均コストは36～2,000米ドル<sup>3</sup>
- 1世帯における入院費は、毎月の世帯収入の15～23%であり、社会経済的要因によっては、それ以上を入院費に費やす可能性がある<sup>4,5</sup>

「恐ろしい状況だった。公的/民間問わず病院には多くの人が詰めかけていた。私立病院の救急医療センターはその対応能力を超えていた。」<sup>1</sup>

1. PLOS. Neglected Tropical Disease. Societal impact of dengue outbreaks: Stakeholder perceptions and related implications. A qualitative study in Brazil, 2015  
2. WHO scales up response to worldwide surge in dengue <https://www.who.int/news-room/feature-stories/detail/who-scales-up-response-to-worldwide-surge-in-dengue>

4. Shepard, et al. Lancet Infect Dis 2016;16:935-41  
5. Tozan Y, Ratanawong P, Sewe MO, Wilder-Smith A, Kittayapong P. Household costs of hospitalized dengue illness in semi-rural Thailand. PLoS Negl Trop Dis. 2017;11(9):e0005961.

6. Sri Lanka Journal of Child Health, 2014; 43(4): 205-207 .  
Economic cost of hospitalized non-fatal paediatric dengue at the Lady Ridgeway Hospital for Children in Sri Lanka

# デング熱による広範にわたる経済的影響<sup>1-4</sup>



## 世帯

### 医療費

直接医療費および直接非医療費

### 医療的ケアに伴う生産性

間接費用：感染者や看護を行う方々の仕事の欠勤、学校の欠席

## 政府

### 媒介蚊対策、調査、広報費用

デング熱のアウトブレイク対策費用  
広報、調査、媒介蚊対策、医療従事者等のための追加費用

## マクロ経済への影響

### 経済・社会

貿易、観光、対外直接投資

### 国の生産性

長期的な流行に伴う疲弊は、教育レベル、労働力および生産性にも影響

### 行動

子供および若年成人への投資、世帯やコミュニティにおける消費活動に対する経済支援が必要

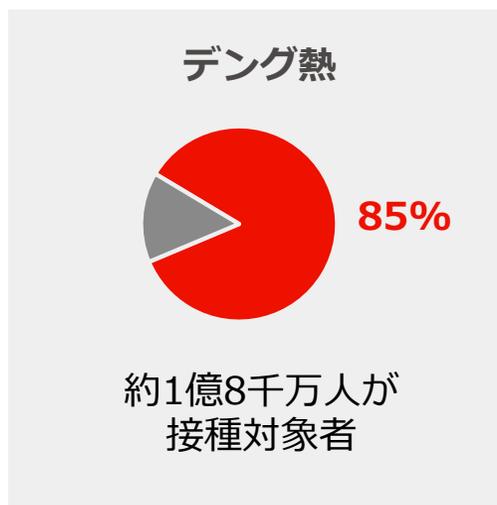
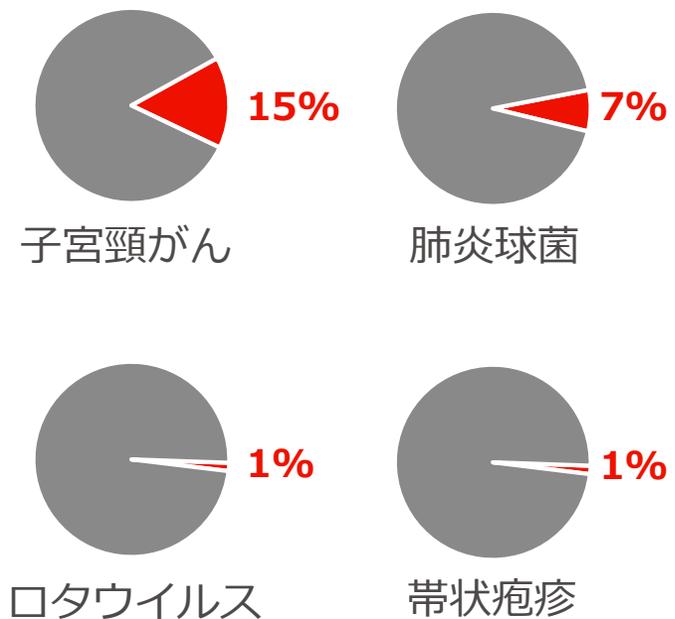
# 広範囲にわたるデング熱ワクチンの接種対象者



流行国におけるデング熱ワクチンの接種対象者数は、近年発売されたワクチンのそれを大きく上回る<sup>1</sup>

## 全人口に占めるワクチン接種対象者の割合（%）（ブラジル）<sup>2</sup>

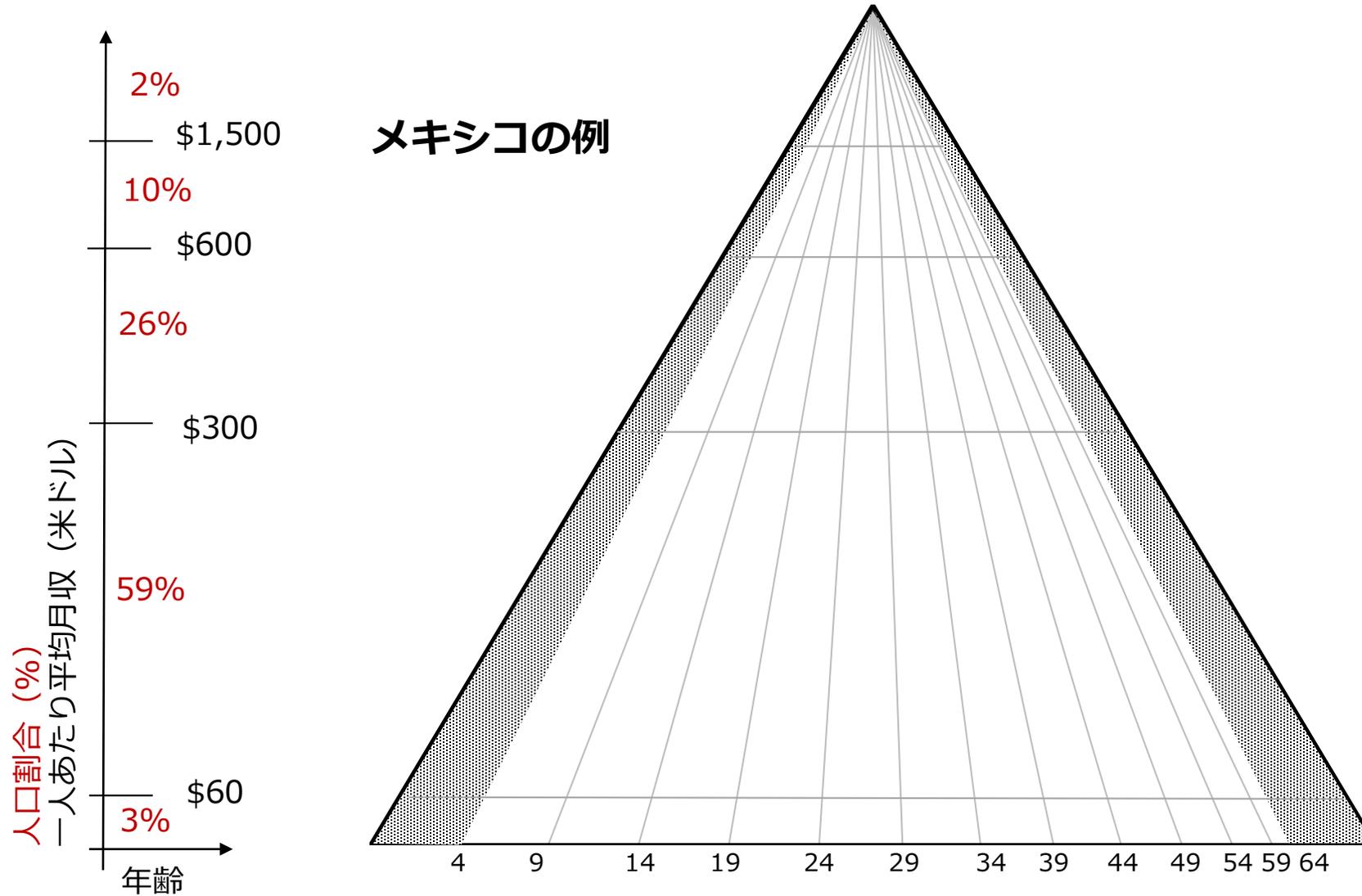
### 近年発売されたワクチン



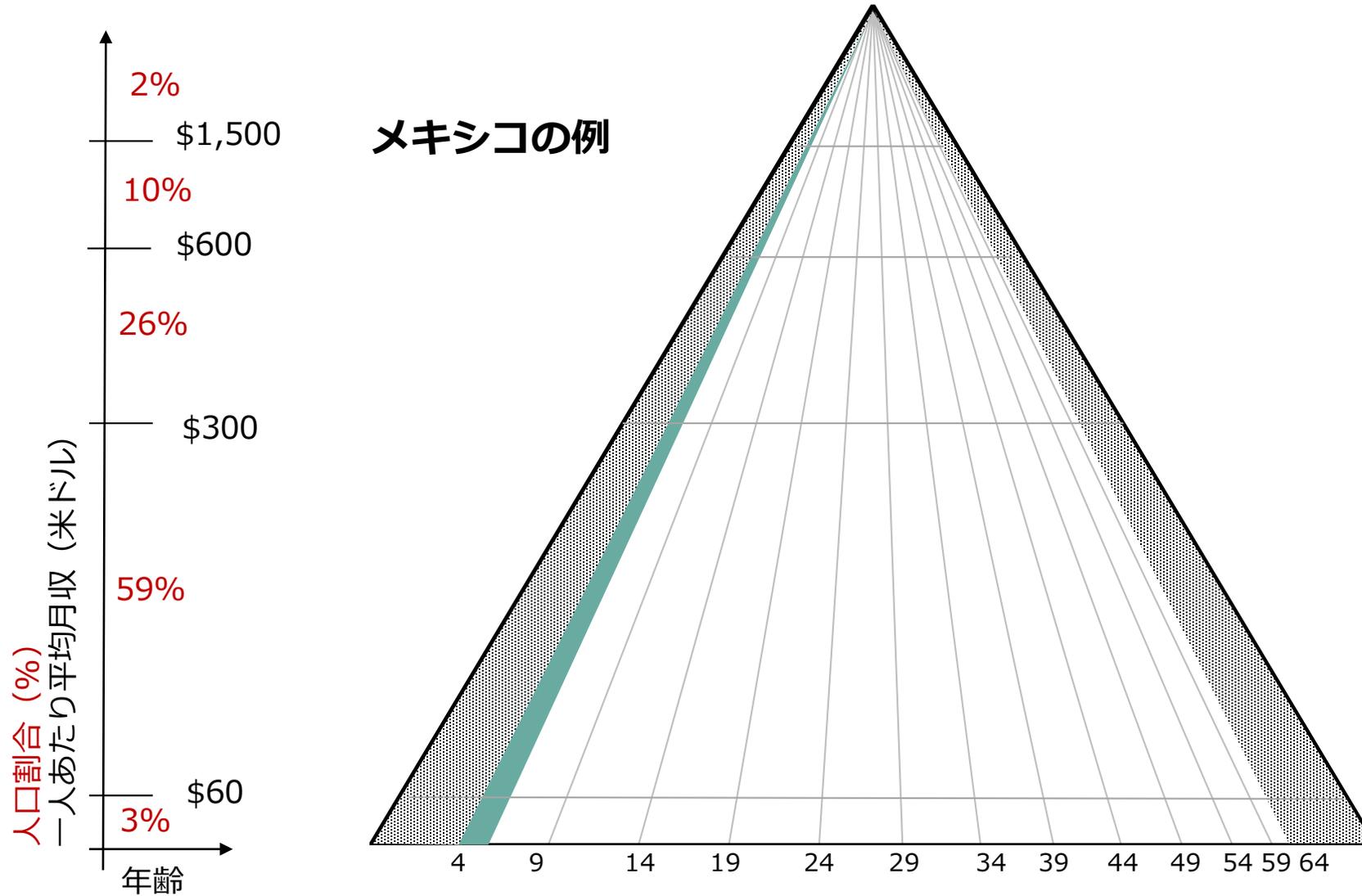
### 広範囲で多様な対象者

- 都市部～農村部の住民
- 小児、青年、成人
- 男性、女性

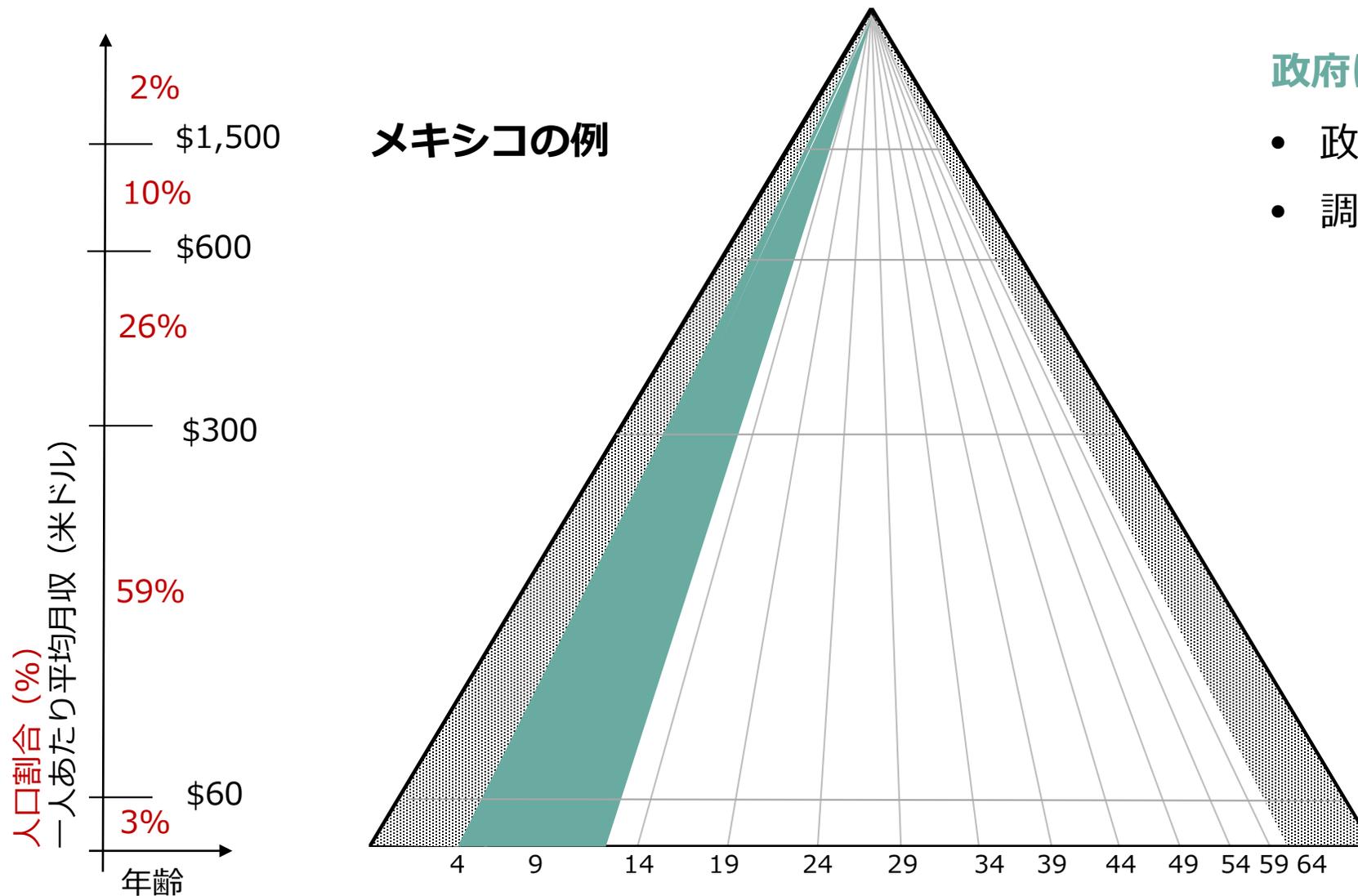
# 流行国でのアクセス最大化プラン



# 流行国でのアクセス最大化プラン



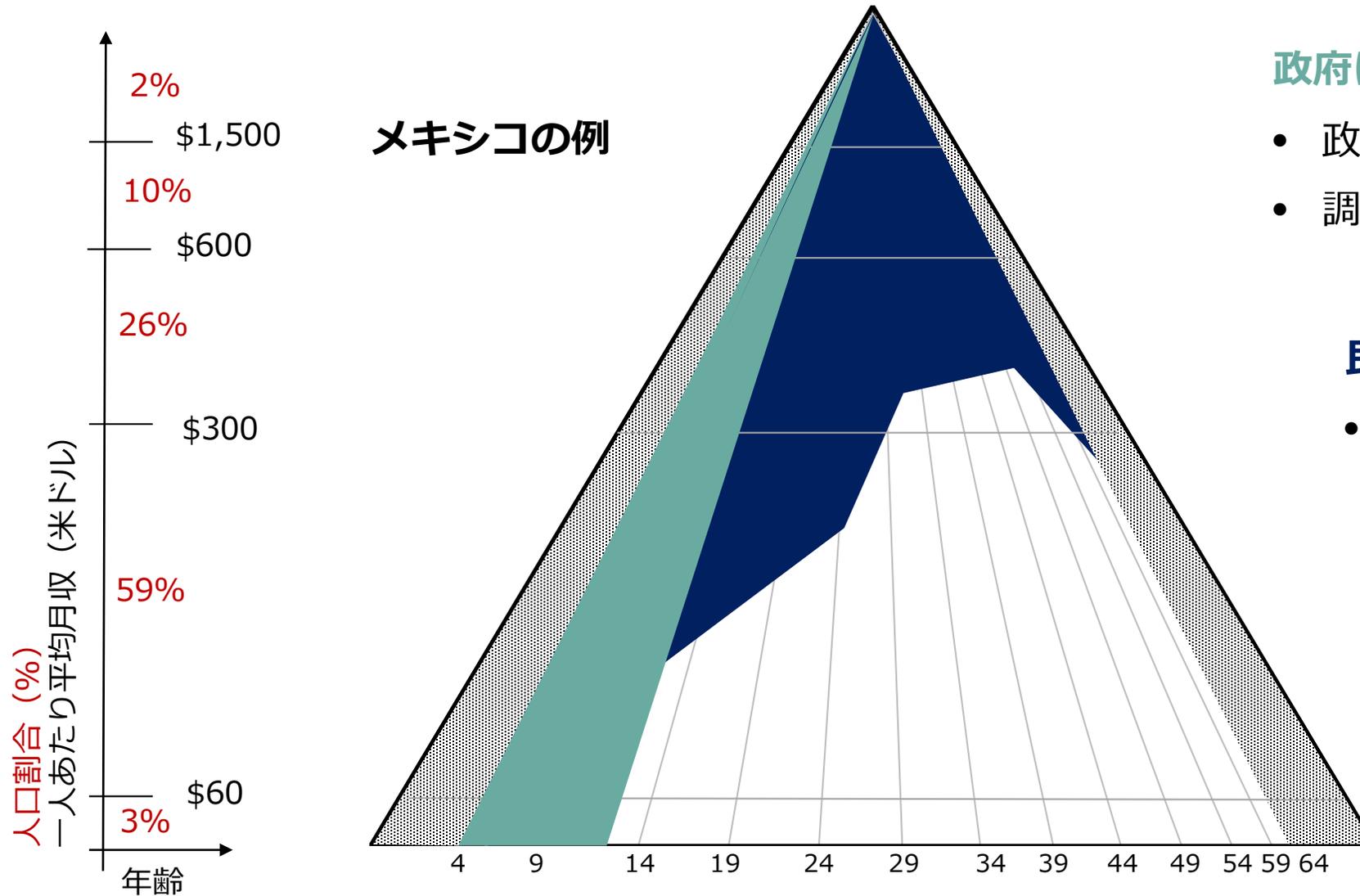
# 流行国でのアクセス最大化プラン



## 政府による予防接種プログラムの拡大

- 政府融資
- 調達手順

# 流行国でのアクセス最大化プラン



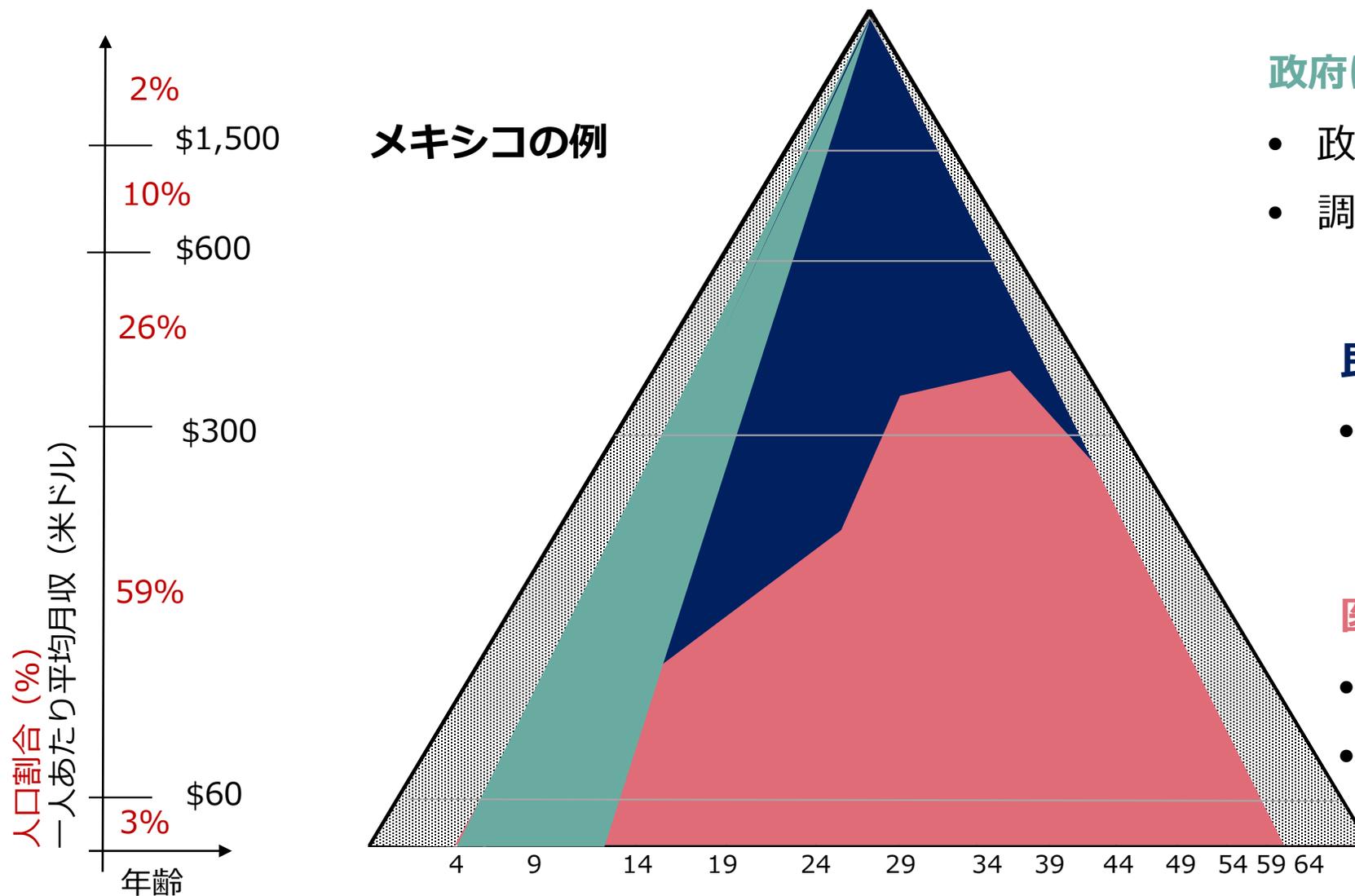
## 政府による予防接種プログラムの拡大

- 政府助成金
- 調達手順

## 民間セクターの活性化

- 個人への助成金

# 流行国でのアクセス最大化プラン



## 政府による予防接種プログラムの拡大

- 政府助成金
- 調達手順

## 民間セクターの活性化

- 個人への助成金

## 医療へのアクセス

- 患者さん支援プログラム
- 脅威にさらされている人々

# トラベルワクチンとしての非流行国市場での有用性



デング熱は、**ラテンアメリカ、カリブ海、東南アジア**から帰国する旅行者における発熱の主因<sup>1,2</sup>となっており、その数はマラリアを上回る

地図は、米国、カナダ、欧州からの旅行の例を示しており、具体的な人数や時期は詳述していない

2018年に米国、カナダ、欧州からデング熱流行国へ移動した人の数は**9,000万人\*以上<sup>3</sup>**

\*非居住者による移動

1. Halstead S, Wilder-Smith A. Severe dengue in travelers: pathogenesis, risk and clinical management. J Travel Med. 2019;26(7).
2. CDC. Yellow Book. <https://wwwnc.cdc.gov/travel/yellowbook/2020/travel-related-infectious-diseases/dengue>
3. World Tourism Organization Yearbook of Tourism Statistics, Data 2014 - 2018, 2020 Edition [https://tillvaxtverket.se/download/18.5d4267f7170c014f2fcbbaa/1583832450663/Yearbook\\_2020\\_ed.pdf](https://tillvaxtverket.se/download/18.5d4267f7170c014f2fcbbaa/1583832450663/Yearbook_2020_ed.pdf)

# TAK-003はデング熱による甚大な世界的問題の対処法となる可能性



TAK-003は、過去のデングウイルスの感染歴にかかわらず、小児および成人を対象に、デングウイルスの4種すべての血清型に対して予防効果を示すことを目的として開発

TAK-003は4価デング熱ワクチンであり、4種のワクチンウイルス型すべての遺伝子型の“バックボーン”として弱毒化された生の2型デングウイルスを使用

複数の免疫応答を誘導するように設計



# ピボタル臨床第3相試験デザイン



DEN-301：ラテンアメリカおよびアジアの流行地域において、小児20,099例（4～16歳）をTAK-003投与群またはプラセボ投与群のいずれかに2:1の割合で無作為割り付け：地域ごとの被験者バランスの整合性あり<sup>1</sup>



# TAK-003は強固な安全性プロファイルを有し デング熱に対し有効性を示した



DEN-301試験の主要評価項目  
(12カ月時点の有効性)を達成<sup>1</sup>

DEN-301試験の副次評価項目(18カ月時点の有効性)の大部分を達成<sup>2</sup>



デング熱に対する  
有効率は80%

全体のワクチン有効率は80.2%  
(73.3, 85.3;  $p < 0.001$ )<sup>1</sup>  
(全てのウイルス血清型やベース  
ラインでの血清反応を含めた全体  
の有効率)



デング熱による入院  
に対する有効率は90%

デング熱による入院のワクチン有  
効率は90.4% (82.6, 94.7;  
 $p < 0.001$ )<sup>2</sup>  
(全てのウイルス血清型やベース  
ラインでの血清反応を含めた全体  
の有効率)



幅広い予防

ベースラインでの血清反応陽性被  
験者集団および陰性被験者集団の  
両集団におけるワクチン有効率は  
同程度であり、それぞれ76.1%  
(68.5, 81.9)、66.2% (49.1,  
77.5)<sup>2</sup>



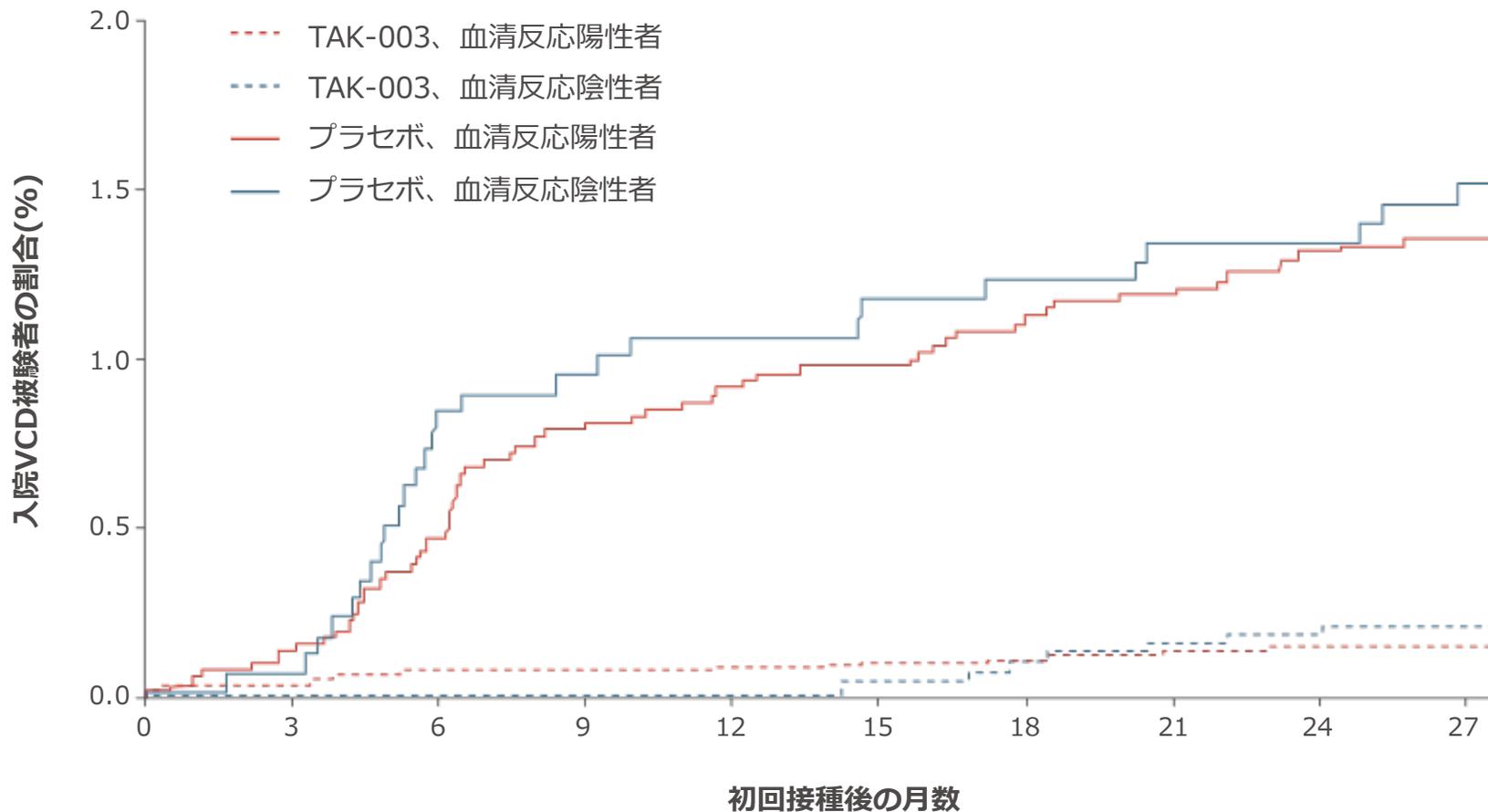
有効性は  
デングウイルスの  
血清型により異なる<sup>2</sup>

DENV1 : 69.8%VE (54.8, 79.9)  
DENV2 : 95.1%VE (89.9, 97.6)  
DENV3 : 48.9%VE (27.2, 64.1)  
DENV4 : 症例数が不十分なため評価  
できず

TAK-003の忍容性は良好であり、強固な安全性プロファイルを有する<sup>1,2</sup>

# デング熱による入院が約90%減少

観察期間24カ月



**全体**  
**ワクチン有効率** **89.2%**  
**(82.4, 93.3)**

ベースライン  
血清反応陰性 87.0%  
(70.1, 94.3)

ベースライン  
血清反応陽性 90.0%  
(81.9, 94.5)

ベースライン血清反応陰性：デングウイルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウイルス血清型に対し、中和抗体価が10以上。

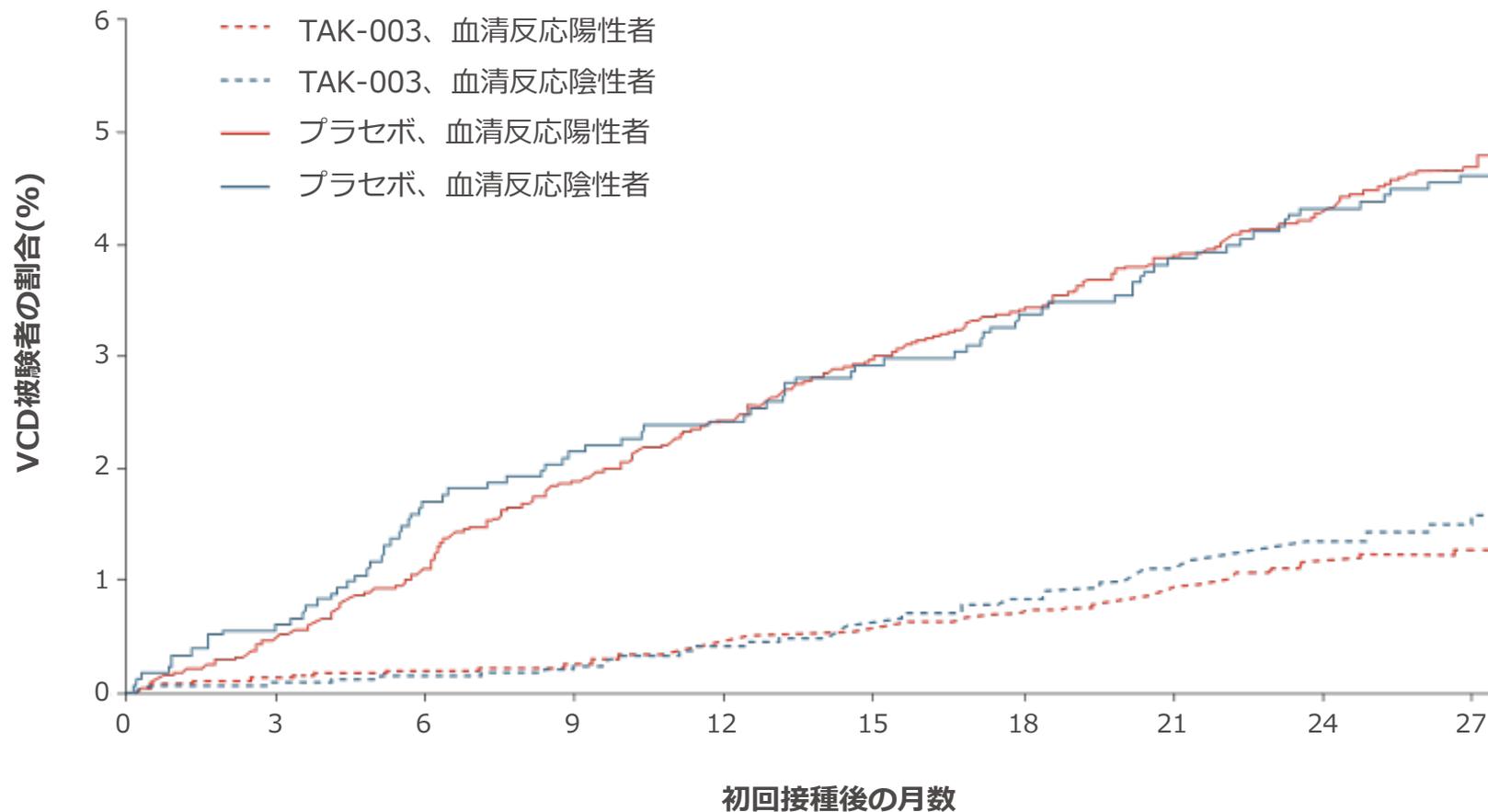
VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

# デング熱の発症を70%以上減少

観察期間24カ月



**全体  
ワクチン有効率 72.7%**  
(67.1, 77.3)

ベースライン  
血清反応陰性 67.0%  
(53.6, 76.5)

ベースライン  
血清反応陽性 74.8%  
(68.6, 79.8)

ベースライン血清反応陰性：デングウイルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウイルス血清型に対し、中和抗体価が10以上。

VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

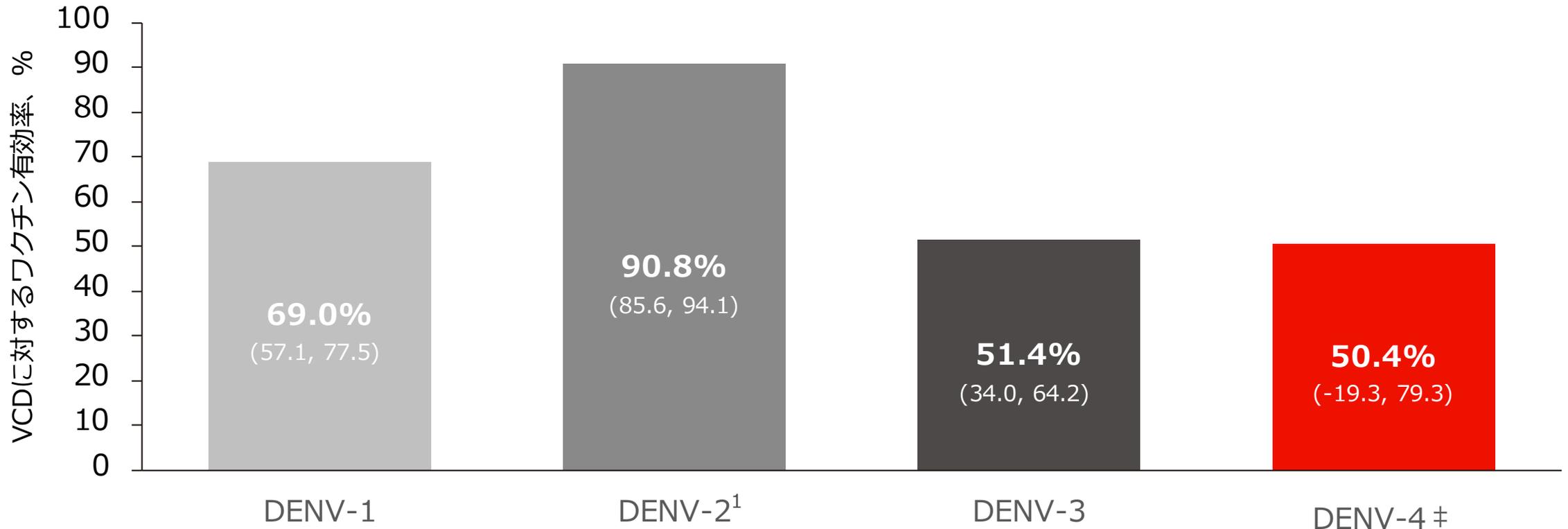
1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

# 有効性はデングウイルス血清型により異なるが、最も流行している デング2型ウイルスでデング熱を最も減少\*



24カ月までのデータ<sup>1</sup>

## デング熱に対するワクチン有効率（VE）<sup>†</sup>（24カ月までのデングウイルス血清型別の有効率）



初回接種から2回目接種後2年後までの安全性データセット

\*本試験ではDENV-1とDENV-2が最も多く見られたのに対し、DENV-4は最も少なく見られました。

<sup>†</sup>ベースライン血清反応陽性及び血清反応陰性の両方を含みます。

<sup>‡</sup>デング4型ウイルスの症例は限られていました。

ベースライン血清反応陰性：デングウイルス1-4型全てに血清反応陰性。ベースライン血清反応陽性：1つ以上のデングウイルス血清型に対し、中和抗体価が10以上。

VCD：ウイルス学的に確認されたデング熱感染

VE：ワクチン有効率（95%信頼区間）

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

# TAK-003の安全性と忍容性

24カ月までのデータ



TAK-003の2回目接種後、  
24カ月までにわたる強力  
な安全性プロファイル<sup>1</sup>

ベースライン血清反応陰  
性者における疾患増悪の  
エビデンスなし<sup>1,2,3</sup>

18カ月時点ではベースラ  
インDENV-3血清反応陰  
性集団で若干のデング熱  
増加\*が見られたが、  
24カ月時点では安定化<sup>1,3</sup>

\*この知見や有効性の欠如は統計的に有意ではありませんでした。

1. 社内データ。2020年11月17日に開催された米国熱帯医学会で発表。

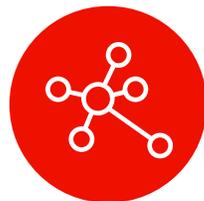
2. Biswal S, et al. [Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children and adolescents](#). *N Engl J Med*. 2019; Retrieved November 2019.

3. Biswal S, et al. [Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in health children aged 4-16 years: a randomized, placebo-controlled, phase 3 trial](#). *Lancet*. 2020. doi:10.1016/S0140-6736(20)30414-1

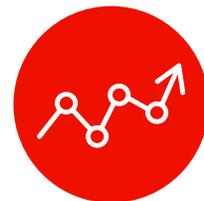
# 接種2年後データに基づく強固な有効性と安全性プロファイル



デング熱による  
入院の確実な減少<sup>1</sup>



デング熱に対する  
継続的な有効性を  
確認。1年目と2年  
目の間に若干の効  
果減弱が見られた  
ため追加免疫の必  
要性について評価  
予定<sup>1</sup>



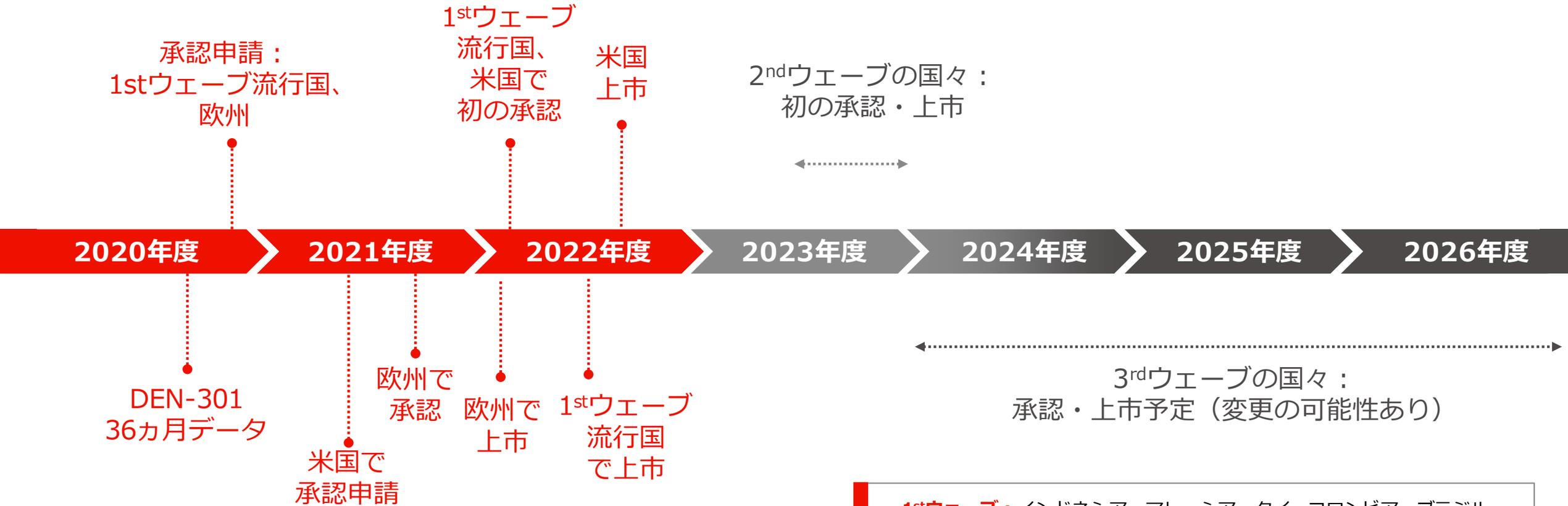
被験者の過去のデ  
ングウイルス感染  
歴の有無に関係な  
く、両被験者集団  
において同程度の  
有効性が示された<sup>1</sup>  
観察された有効性  
は継続的にデング  
ウイルスの血清型  
により異なった<sup>1</sup>



被験者における忍  
容性は良好<sup>1</sup>

TAK-003の2回目  
接種後24カ月まで  
の強固な安全性<sup>1</sup>

# 予定されるマイルストーン



- **1<sup>st</sup>ウェーブ**：インドネシア、マレーシア、タイ、コロンビア、ブラジル、メキシコ、シンガポール、スリランカ、アルゼンチン、米国、複数のEU諸国
- **2<sup>nd</sup>ウェーブ**：カナダ、イスラエル、エクアドル、グアテマラ、パラグアイ、ペルー、コスタリカ、エルサルバドル、パナマ、ニカラグア、フィリピン、香港、オーストラリア、ベトナム
- **3<sup>rd</sup>ウェーブ**：キューバ、ホンジュラス、ベネズエラ、中国、インド

1

新規デング熱ワクチンに対する喫緊の需要に応えるため、当社は年間5千万回以上接種分の生産能力を構築

2

流行国（Article 58）、欧州および米国において、2021年に最初の承認申請予定

3

デング熱ワクチン市場は2029年までに年間15～20億米ドルに達すると推定<sup>1</sup>

# 本日のアジェンダ



時間 (東部時間)	時間 (日本時間)	アジェンダ
17:00 - 17:10	07:00 - 07:10	武田：バリュー（価値観）を根幹とする、グローバルな研究開発型のバイオ医薬品のリーディングカンパニー 代表取締役社長 CEO、クリストフ・ウェバー
17:10 - 17:25	07:10 - 07:25	革新的な医薬品を患者さんに届ける我々のコミットメントを追求：厳選されたウェーブ1プログラムに注目 リサーチ&開発プレジデント、アンディー・プランプ
17:25 - 17:35	07:25 - 07:35	ENTYVIOケーススタディ：患者さんの治療経過に沿った標準治療の構築 USビジネスユニットプレジデント&グローバルポートフォリオコマースライゼーションプレジデント、ラモナ・セケイラ
17:35 - 18:05	07:35 - 08:05	TAK-721 Deep Dive：好酸球性食道炎を適応症とした、初のFDA承認治療薬となる可能性 グローバルプロダクト&ローンチストラテジー TAK-721グローバルプログラムリード、マイク・ニーダム
18:05 - 18:35	08:05 - 08:35	TAK-003 Deep Dive：デング熱予防を目的とした弱毒生4価ワクチン グローバルワクチンビジネスユニットプレジデント、ラジーヴ・ヴェンカヤ
18:35 - 19:15	08:35 - 09:15	<b>Q&amp;Aセッション</b>  付録1：Wave 1パイプライン・サマリー 付録2：疫学データ 付録3：臨床試験の概要

# 本日のスピーカー



**クリストフ・  
ウェバー**  
代表取締役社長 CEO



**アンディー・プランプ**  
リサーチ&デベロップメント  
プレジデント



**ラモナ・セケイラ**  
US ビジネスユニット  
プレジデント &  
グローバルポートフォリオ  
コマースライゼーション  
プレジデント



**マイク・ニーダム**  
グローバルプロダクト&  
ローンチ ストラテジー  
TAK-721グローバル  
プログラムリード



**ラジーヴ・  
ヴェンカヤ**  
グローバルワクチン  
ビジネスユニット  
プレジデント

## Q&A対応者



**コスタ・  
サルウコス**  
チーフ フィナンシャル  
オフィサー



**テレサ・ビデッティ**  
グローバルオンコロジー  
ビジネスユニット  
プレジデント

付録1  
Wave 1パイプライン・サマリー



# MOBOCERTINIB (TAK-788)

EGFRエクソン20挿入変異を有する非小細胞肺癌 (NSCLC) に対する新たな標準治療となる可能性

ODD

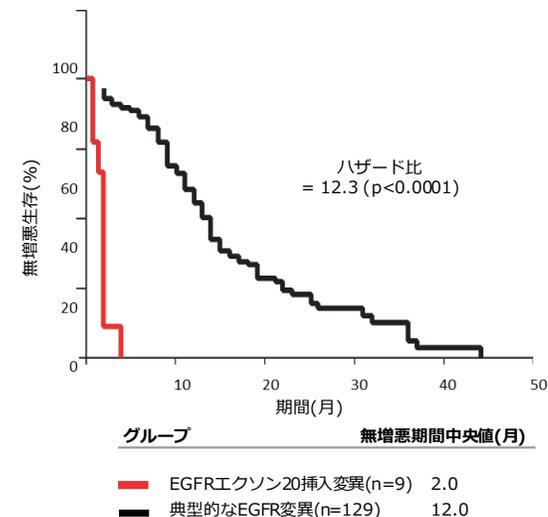
BTD

BTD  
(中国)

FTD

作用機序	エクソン20挿入変異特異的EGFRチロシンキナーゼ阻害剤
アンメットニーズ	<p><b>EGFRエクソン20挿入変異を有する患者さんに対する既承認の標的療法はない</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤はエクソン20挿入変異を治療するデザインではない</li> <li>現在の治療法には、化学療法、既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤およびがん免疫療法があるが、いずれもすべての治療ラインにおいてPFS中央値は6か月未満</li> <li>エクソン20挿入変異を有する患者さん集団にとっての最大のアンメットニーズは、許容可能な副作用プロファイルで生存期間を改善する標的治療</li> </ul>
主要データ	EGFRエクソン20挿入変異を有する非小細胞肺癌の2次治療以降でのmobocertinibの臨床第1/2相試験は、ITT集団で確定奏効率43%、奏効期間13.9か月、PFS中央値7.3か月と有望な結果を示した
市場機会	グローバルにおいて、非小細胞肺癌の1~2%がEGFRエクソン20挿入変異を有する (米国で約4千人、全世界で2~3万人)
開発状況とマイルストーン	<div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center;"> <div style="text-align: center;">  <p>2L+ NSCLCエクソン20 臨床第2相試験データ読み出し (H1)</p> </div> <div style="text-align: center;">  <p>1L NSCLCエクソン20 臨床第3相試験データの読み出し</p> </div> </div> <div style="text-align: center; margin: 10px 0;"> <p>2020年度 → 2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度</p> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center;"> <div style="text-align: center;"> <p>2L+ NSCLC エクソン20 承認 (米国)</p> </div> <div style="text-align: center;"> <p>2L+ NSCLC エクソン20 承認 (中国)</p> </div> <div style="text-align: center;"> <p>1L NSCLC エクソン20 承認 (米国/欧州)</p> </div> </div>

既承認のEGFRチロシンキナーゼ阻害剤はEGFRエクソン20挿入変異に対して有意なPFSの改善を認めない



- 再発/難治性患者さんを対象としたPh1/2 EXCLAIM試験 (シングルアーム) は、2020年度の初回申請をサポートする可能性
- 一次治療を対象とした臨床第3相試験 EXCLAIM-2試験 (化学療法比較) は、現在患者さん登録中
- EGFRエクソン20挿入変異コンパニオン診断について、米国/日本/欧州でThermo Fisher、中国でAmoy Diagnosticsと提携

# PEVONEDISTAT (TAK-924)

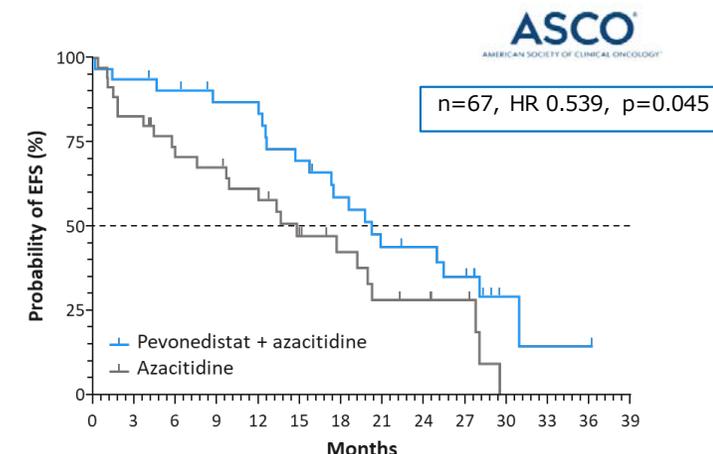
ODD

BTD

高リスク骨髄異形成症候群 (HR-MDS) において10年以上ぶりの新規治療薬となる可能性

作用機序	NEDD8活性化酵素 (NAE) 阻害薬
アンメット ニーズ	<p>HR-MDS患者さんの予後は不良であり、QoLの低下、高い確率での急性骨髄性白血病 (AML) への移行を経験し、治療選択肢は限定的</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>治療アウトカムは不良であり、現在ある治療選択肢では依然として死亡率は高い 生存期間中央値は、HR-MDSで12~15カ月であり、AMLでは10~15カ月</li> <li>支持療法の大きな経済的負担：入院が一般的であり、多くの患者さんは輸血に依存</li> </ul>
主要データ	<p>HR-MDS : pevonedistatとアザシチジンの併用は、全生存期間 (OS)、無イベント生存期間 (EFS)、完全寛解 (CR)、輸血非依存を含む臨床的意義がある複数の評価項目で効果を示し、安全性プロファイルはアザシチジン単剤と同様</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>アザシチジンにpevonedistatを追加すると、完全寛解 (CR) 率が2倍 (51.7% vs 26.7%) になり、全生存期間 (OS) および無イベント生存期間 (EFS) も改善する可能性</li> </ul> <p>非適応のAML：臨床第1b相試験における高齢者AMLに対する有望な臨床成績</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>全生存率60%、二次性AMLの生存率の改善傾向</li> </ul>
市場機会	<p>1L HR-MDS : 米国では約7千人、主要7カ国では1.5~2万人 (移植不適格は約80%)</p> <p>1L AML : 米国約1.9万人、主要7カ国3.5~4万人 (移植不適格は約50%)</p>
開発状況と マイルストーン	<div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center;"> <div style="text-align: center;">  <p><b>PANTHER</b> HR-MDS 臨床第3相試験データ (H2)</p> </div> <div style="text-align: center;">  <p><b>PEVOLAM</b> 非適応AML 臨床第3相試験データ</p> </div> </div> <div style="text-align: center; margin-top: 10px;"> <p>2020年度 → 2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度</p> <p style="margin-left: 150px;">1L HR-MDS承認 (米国/欧州/日本)</p> <p style="margin-left: 350px;">1L 非適応のAML承認</p> </div>

P2001: HR-MDSにおける  
臨床第2相試験プルーフオブコンセプト試験



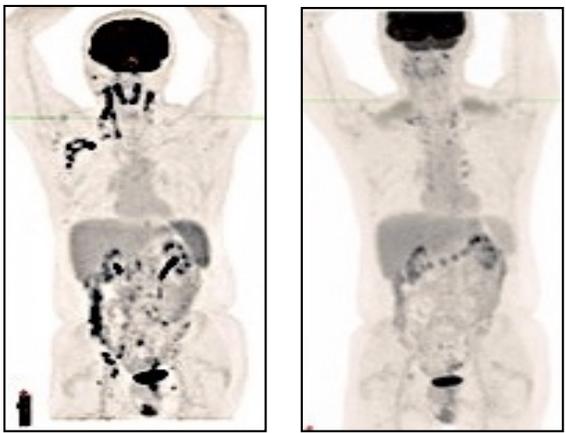
EFS : 無イベント生存期間、  
「死亡」または「AMLへの転化」をイベントと定義

- 米国FDAが2020年7月にブレイクスルーセラピーに指定
- 中国を含む新興市場における臨床開発の取り組みは、全体的なプログラム戦略に統合
- Pevonedistat、venetoclax、アザシチジン併用試験の患者さん登録を実施中
- その他のAML/MDS対象患者さんにおける追加のpevonedistat併用療法を開発するために、外部提携についても幅広く、戦略的に活用

## 複数のがん種に対して変革をもたらす既製化（OFF THE SHELF）細胞療法となる可能性

<p><b>作用機序</b></p>	<p>CD19 CAR-NK細胞療法</p>
<p><b>アンメット ニーズ</b></p>	<p>有効性に加え、安全性プロファイルが改善された既製化細胞治療に大きなニーズ</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• CAR-T療法を受けることのできないCD19陽性B細胞性悪性腫瘍患者さんの全生存期間中央値は10カ月未満</li> <li>• 現在のCAR-T細胞療法は数週間の製造工程を必要とし、その投与は専門の移植センターに限定され、サイトカイン放出症候群または神経毒性を含む副作用を伴う</li> </ul>
<p><b>主要データ</b></p>	<p>CD19陽性B細胞性悪性腫瘍を対象とした有望なPh1/2データ、有効性はCAR-T療法に匹敵</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 患者さんの73%が治療に奏効し（11例中8例）、<b>64%で完全奏効（11例中7例）を確認</b></li> <li>• <b>サイトカイン放出症候群、神経毒性、移植片対宿主病（GvHD）の発生なし</b></li> </ul> <p>治療の総コストが安く輸送が容易なことから、アクセス拡大の可能性</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 既製化（Off the shelf）療法は遅滞なく患者さんの治療することができ、外来での投与が可能で、輸送負担の軽減や医療資源の利用とコストの低減につながる</li> </ul>
<p><b>市場機会</b></p>	<p>3L+ DLBCL、CLL、iNHL：米国約9千人、主要7カ国：1.5～2.5万人 2Lへの適応拡大、CAR-NKプラットフォームを他のがん種へ拡大する可能性</p>

Ph1/2データ：47歳男性、再発のダブルヒット（C-MYC/BCL-2）DLBCL



ベースラインスキャン CAR19-NK後30日目

Dr. Katy Rezvani氏（MDアンダーソンがんセンター）のデータ



- 2Lへの適応拡大、CAR-NKプラットフォームを他のがん種へ拡大する可能性

# MARIBAVIR (TAK-620)

ODD

BTD

移植後のCMV感染症患者さんに対し、この10年以上で初めて承認される可能性のある治療薬

## 作用機序

Maribavirは、抗サイトメガロウイルス（CMV）活性を有する経口ベンゾイミダゾールリボシドであり、プロテインキナーゼUL97<sup>1-7</sup>の抑制を介してウイルスカプシドの核からの放出を阻害

## アンメット ニーズ

既存治療は移植後のCMV感染症治療では承認されておらず、入院を必要とする重度の毒性および耐性発現により、臨床的有用性は著しく制限

- 既存の標準治療は、一次治療：valganciclovirおよびganciclovir、二次治療：foscarnetおよびcidofovir。いずれも移植後のCMV治療としては承認されておらず、重度の毒性（骨髄抑制および腎毒性）を有する
- CMVの予防療法が米国（2017年）、欧州（2018年）、日本（2018年）で承認。適応は高リスクHSCT（造血幹細胞移植）患者さんのCMV予防に限る（固形臓器移植に適応なし）

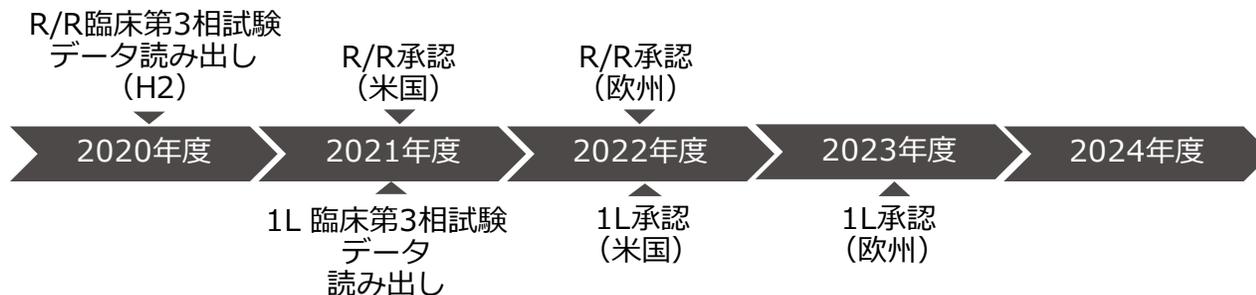
## 主要データ

- 移植後のCMV患者さんを対象とした予防治療（一次治療）の臨床第2相試験において、TAK-620は標準治療（valganciclovir）と比較して骨髄抑制発現率が低く同程度の有効性を示した
- 再発・難治性（R/R）の移植後CMV患者さんを対象とした臨床第2相試験では、maribavirは $\geq 400\text{mg}$ 、1日2回投与で活性を示し、新たな安全性シグナルは確認されず

## 市場機会

- 4.6万人超の患者さんがCMV感染症を経験（米国：1.4万人）
- 2万人超の患者さんが治療制限に繋がる毒性または再発性CMV感染症を経験（米国：6千人）
- 1万人超の患者さんで一次標準療法が無効で、標準療法に対して再発・難治性となる

## 開発状況と マイルストーン



Clinical Infectious Diseases<sup>6</sup>誌に掲載された  
2L R/R CMVの臨床第2相試験データ

有効性評価項目：6週間以内のCMV DNAのクリアランス

**全体：  
67%の有効性** → 過去のアウトカム（約50%）  
を上回る大幅な改善<sup>8-11</sup>

**良好な安全性  
プロファイル** → 腎毒性および骨髄抑制による  
治療中止なし

NEJM<sup>10</sup>誌に掲載された1L CMVの臨床第2相試験データ

有効性評価項目：6週間以内のCMV DNAのクリアランス

	Maribavir	Valganciclovir
CMVのクリアランス	79%	67%
好中球減少症の発現率	6%	22%

- 303試験：前治療に抵抗性または難治性のCMV感染症を有するHSCTおよびSOT患者さんを対象とした、maribavirの治験責任医師が割り付けた治療に対する多施設共同無作為化実薬対照非盲検試験
- 302試験：治療歴のないHSCT実施患者さんにおける初回CMV感染の先制治療を対象とした、maribavirのvalganciclovirに対する多施設共同無作為化二重盲検非劣性試験

1. Chou S, Marousek GI. J Virol. 2008;82:246-53;  
2. Chou S. Curr Opin Infect Dis. 2015;28:293-9;  
3. Krosky PM, et al. J Virol. 2003;77:905-14;  
4. Maertens J, et al. N Engl J Med. 2019;381:1136-47;

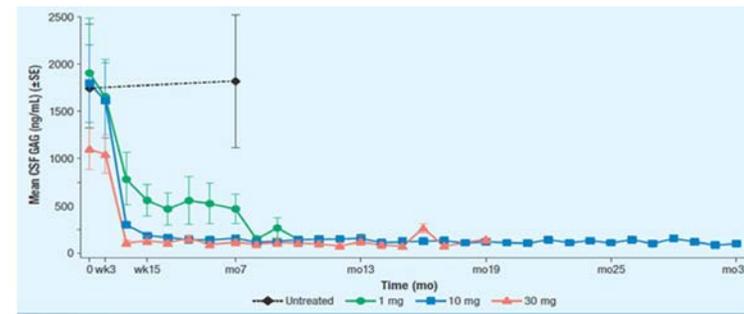
5. Papanicolaou GA, et al. Clin Infect Dis. 2019;68:1255-64;  
6. Prichard MN. Rev Med Virol. 2009;19:215-29;  
7. Clin Infect Dis. 2019 Apr 8;68(8):1255-1264  
8. Antimicrob Agents Chemother, 2014;58:128-53

9. Mehta et al, 2016 American Transplant Congress, Meeting abstract C279  
10. J Heart Lung Transplant. 2019;Vol.38,Issue 12;p.1268-1274  
11. N Engl J Med 2019; 381:1136-47

## 米国/欧州におけるハンター症候群患者さんの認知機能障害に対する初めての治療薬となる可能性

<p><b>作用機序</b></p>	<p>血液脳関門を回避するために外科的に埋め込まれたポートを介し、中枢神経に直接髄腔内注入するよう設計された遺伝子組換えヒトイズロン酸-2-スルファターゼ</p>
<p><b>アンメットニーズ</b></p>	<p>大多数のハンター症候群患者さん（約60%）が認知機能に影響を受けているため、治療薬に対するアンメットニーズは非常に高い</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>イズロン酸-2-スルファターゼの欠損は、中枢神経系内の細胞や組織の機能に影響を及ぼすグリコサミノグリカン（GAG）の蓄積を引き起こし、進行性の認知能力低下を引き起こす可能性。現在の治療薬は血液脳関門を通過できないため、認知機能の悪化に対処できない</li> <li>TAK-609は、ハンター症候群における認知機能低下を止める/軽減する、Elapraseに対する最初のアドオン療法となる</li> </ul>
<p><b>主要データ</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>2017年12月、ピボタル試験でCSF GAGの著しい低下（△74%）が示されたにもかかわらず、主要評価項目および副次評価項目のいずれも達成できず。アドホック分析では、6歳未満で治療を開始した患者さんで有効である可能性を示した</li> <li>TAK-609の長期投与時の安全性および臨床アウトカムをさらに評価するため、非盲検の臨床第2/3相試験が進行中（投与症例49例、<a href="https://clinicaltrials.gov">clinicaltrials.gov</a>へのリンク）</li> </ul>
<p><b>市場機会</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>出生男児の10～17万人に1人がハンター症候群に罹患（米国：約600人、販売地域<sup>1</sup>：約4,600人）。ハンター症候群の3分の2は中枢神経症状を呈する</li> <li>グローバル市場規模は約745～780百万米ドル<sup>2</sup></li> </ul>
<p><b>開発状況とマイルストーン</b></p>	<div style="text-align: center;"> <p>2020年度 → 2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度</p> <p>承認（米国）      承認（欧州）</p> </div>

### 脳脊髄液内グリコサミノグリカンの低下



ハンター症候群における酵素欠損により蓄積する代謝産物は、未治療患者さんのGAG濃度の範囲（黒点線）と比較して、治療により低下

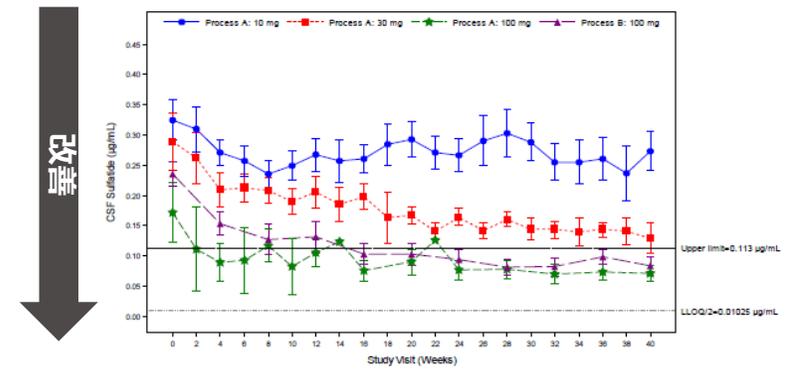
出所：治験総括報告書試験SHP-609-094/302試験（3年データ）

- HGT-HIT-094：ハンター症候群および早期認知障害を有する小児患者さんを対象とした、Elaprase®と併用して投与した髄腔内イデュルスルファラーゼの無作為化2群間比較対照オープンラベル評価者盲検多施設共同試験
- SHP609-302：ハンター症候群および認知機能障害を有する患者さんを対象にElaprase®と併用して投与した髄腔内イデュルスルファラーゼの長期安全性および臨床アウトカムを評価するHGT-HIT-094試験のオープンラベル延長試験

## 症候性の遅発性乳児型異染性白質ジストロフィー（MLD）の急速な進行を止める唯一の治療薬となる可能性

<p><b>作用機序</b></p>	<p>血液脳関門を介さず、外科的に埋め込まれたポートから中枢神経に直接髄腔内注入するよう設計された遺伝子組換えヒトアリールスルファターゼA（rhASA）</p>
<p><b>アンメットニーズ</b></p>	<p>これまで治療法が存在しないため、疾患進行を緩やかにし、遅延、あるいは進行を止める可能性のある治療法に対するアンメットニーズが非常に高い</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>異染性白質ジストロフィー（MLD）の特徴は、発達遅滞、運動機能の低下、認知機能障害、および麻痺や早期死亡につながる視神経萎縮             <ul style="list-style-type: none"> <li>遅発性乳児型の患者さん（有病者の50～60%）は急速な運動機能低下を示し、発症から5年以内に死亡に至る</li> </ul> </li> <li>現在の標準治療は、緩和ケア、症状管理のような、強力とはいえない選択肢のみ</li> </ul>
<p><b>主要データ</b></p>	<p>臨床第1相試験（IDEAMLD）では、小児12例中2例に運動反応が認められ、脳脊髄液中に蓄積したスルファチドが用量依存的に減少。運動機能低下は、自然経過に対して1.5～2年遅延。最高用量（100mg、隔週投与）で治療した2例は、5～6歳までほとんどの運動機能を維持</p> <p>臨床第2相試験（EMBOLDEN）では、現在、150mg/週の用量で患者さん登録が行われており、2022年度にトプラインデータ（速報）が得られる見込み</p>
<p><b>市場機会</b></p>	<p>出生数10万人あたり0.7～1.4人、有病者数は米国で約325～450人、全世界で約1.1万人（全体で約2千人に到達できる）。近い将来、MLD患者さんは、ex-vivo遺伝子治療薬OTL-200（Libmeldy）（EUCANにおいて、2.5-3百万ユーロの価格帯で2021年度上期上市予定<sup>1</sup>）およびTAK-611を使用できる可能性がある。グローバル市場規模はおよそ500～600百万米ドル</p>
<p><b>開発状況とマイルストーン</b></p>	<p>臨床第2b相試験データの読み出し</p> <p>2020年度 → 2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度</p> <p>承認 (米国)      承認 (欧州)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>IDEAMLD：小児MLD患者さんに髄腔内薬物送達装置を介して隔週で計38週間投与、最大3用量のTAK-611（HGT-1110）の安全性を評価するようデザインされた多施設共同、非盲検、用量漸増試験</li> <li>EMBOLDEN：遅発性乳児型MLD患者さんを対象としたTAK-611髄腔内投与の国際共同、多施設共同、非盲検、対応するヒストリカルコントロール試験</li> </ul>

TAK-611により神経毒性のあるスルファチド類が減少



スルファチドのクリアランスには、細胞による取り込みと酵素の酸性リソソームへの移動と活性化が必要。従って、毒性スルファチドの減少は、TAK-611がオリゴデンドロサイトに取り込まれ、リソソームで活性化されることを示している。

出所：治験総括報告書HGT-MLD-070/071試験(40週間データ)

# TAK-755

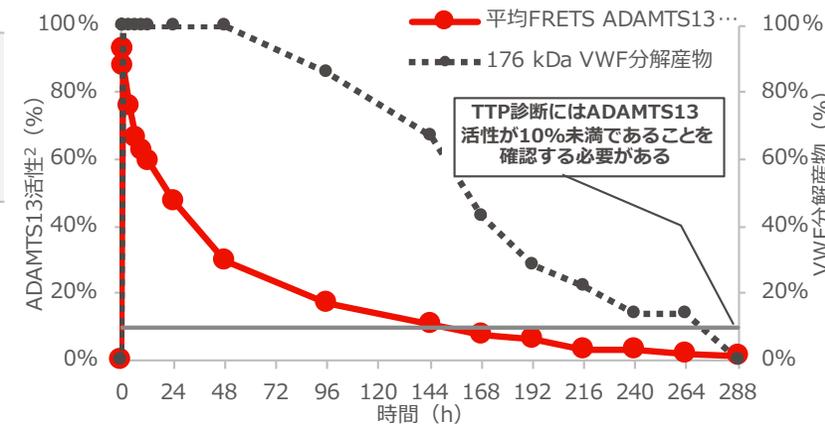
ODD

FTD

## cTTPとiTTPにおいて変革をもたらす治療薬となる可能性

<b>作用機序</b>	血栓性血小板減少性紫斑病（TPP）にみられる、異常に高いフォン・ヴィレブランド因子の活性を低下させることを目的とした、遺伝子組換えADAMTS13酵素補充療法
<b>アンメット ニーズ</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>標準治療である、オンデマンドあるいは定期補充による血漿注入は大きな負担。標準治療を受けた多くの症例で、補充したADAMTS13は、十分な値に到達できない</li> <li>血漿療法への依存度減少および短期・長期での病態改善が主要なバリュードライバー</li> </ul>
<b>主要データ</b>	先天性TTP（cTTP）および免疫性TTP（iTTP）で開発中の、初めてかつ唯一の遺伝子組換えADAMTS13酵素補充療法 <ul style="list-style-type: none"> <li>臨床第1相試験では、VWF多量体、血小板数、血清LDHへの影響など、生体でのTAK-755活性のエビデンスを示した。TAK-755の忍容性は良好で、重篤な有害事象の発現はなく、抗ADAMTS-13抗体も認められず</li> <li>TAK-755は、血漿注入で達成できる値の3～5倍のADAMTS13の補充を可能とし、その結果、正常範囲における最高血漿中レベルを達成</li> </ul>
<b>市場機会</b>	先天性TTP：全世界で約1人/100万人、治療患者さん：米国500人未満、全世界2.5千人 免疫性TTP：全世界で約10人/100万人、発生数：米国2.5千人未満、全世界：約1.4万人 鎌状赤血球症：米国で約10万人、欧州で約15万人
<b>開発状況と マイルストーン</b>	<div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center;"> <div style="text-align: center;">                     iTTP臨床第2相 試験データの 読み出し                 </div> <div style="text-align: center;">                     cTTP臨床第3相 試験データの読 み出し                 </div> <div style="text-align: center;">                     iTTP臨床第3相 試験データの読 み出し                 </div> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center; margin-top: 10px;"> <div style="text-align: center;"> <span style="font-size: 24px;">▶</span> </div> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center; margin-top: 10px;"> <div style="text-align: center;">2021年度</div> <div style="text-align: center;">2022年度</div> <div style="text-align: center;">2023年度</div> <div style="text-align: center;">2024年度</div> <div style="text-align: center;">2025年度</div> </div> <div style="display: flex; justify-content: space-around; align-items: center; margin-top: 10px;"> <div style="text-align: center;">cTTP 承認（米国）</div> <div style="text-align: center;">cTTP 承認（欧州/日本）</div> </div>

TAK-755 40IU/KGでの薬物動態プロファイルとVWF分解の薬学的作用



Blood (2017)130(19):2055-2063.

- TAK-755治療は、高いフォン・ヴィレブランド因子（VWF）活性および/あるいはADAM-13活性の低下と関連する他の疾患において有益である可能性。TAK-755は鎌状赤血球症の適応でも臨床第1/2相試験を実施中
- 臨床第3相試験：重度のcTTP患者さんを対象とした定期補充療法およびオンデマンド療法におけるTAK-755（rADAMTS13）の安全性および有効性を評価する前向き無作為化対照非盲検多施設共同試験
- 臨床第2相試験：後天性TTP（aTTP）患者さんを対象とするTAK-755の薬物動態、安全性および有効性を検討した多施設共同無作為化プラセボ対照二重盲検試験

# SOTICLESTAT (TAK-935)

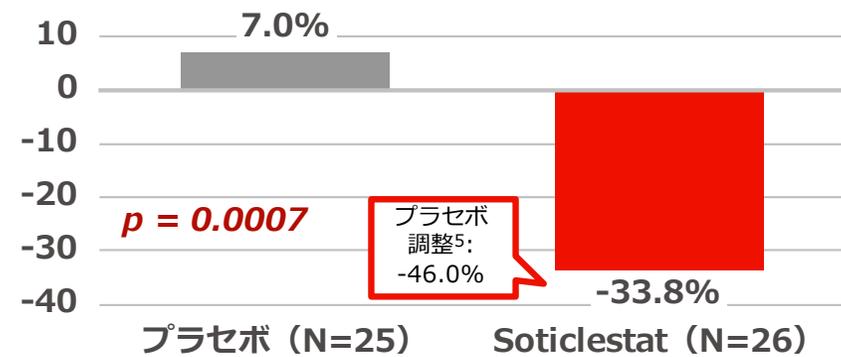
ODD in DS ODD in LGS

希少てんかん症候群における発作コントロールを改善する  
ファースト・イン・クラスのコレステロール24-ヒドロキシラーゼ (CH24H) 阻害剤

作用機序	コレステロール24-ヒドロキシラーゼ (CH24H) 阻害剤
アンメット ニーズ	発達性およびてんかん性脳症 (DEE) は、複数の抗てんかん薬に対して高い治療抵抗性を示し、FDA承認の治療法はほとんどない <ul style="list-style-type: none"><li>患者さんの50%以上が治療抵抗性のけいれんに苦しんでおり、発達または認知の遅れ、意思疎通および行動上の課題、ならびにSUDEP<sup>1</sup>の危険性も呈する</li></ul>
主要データ	臨床第2相試験 (ELEKTRA) では、ドラベ症候群 (DS) における高い有効性およびレノックス・ガストー症候群 (LGS) での数値的な減少を示した <ul style="list-style-type: none"><li>忍容性は良好で、安全性プロファイルは、これまでの試験の結果と同様で、新たに安全性で留意すべき点は確認されず</li><li>DSコホートにおけるけいれん発作頻度の統計学的に有意な減少</li><li>LGSコホートにおける転倒発作頻度の数値的な減少</li></ul>
市場機会	<ul style="list-style-type: none"><li>DEE<sup>3</sup>の対象患者さんは米国で約5万人</li><li>DEEの主要なグローバル市場の対象患者さんは約7~9万人</li></ul>
開発状況と マイルストーン	<ul style="list-style-type: none"><li>規制当局相談を実施後、DSおよびLGSを対象とした臨床第3相試験を開始予定</li></ul>

全治療期間20週間にわたる発作頻度の減少 (mITT)<sup>4</sup>

DSコホートにおけるけいれん発作頻度の統計的に有意な減少



LGSコホートにおける転倒発作頻度の数値的な減少



• Ovid Therapeutics<sup>2</sup>との共同開発

80 | 1. SUDEP: てんかんにおける予期せぬ突然死  
2. 当社とOvid Therapeutics社は、soticlestatの開発・商業化費用を分担しており、成功した場合は利益を折半

3. DEE: 発達性脳症およびてんかん性脳症  
4. mITT: 修正intent-to-treat  
5. Hodges-Lehmann推定に基づく両群間の%変化の差の中央値

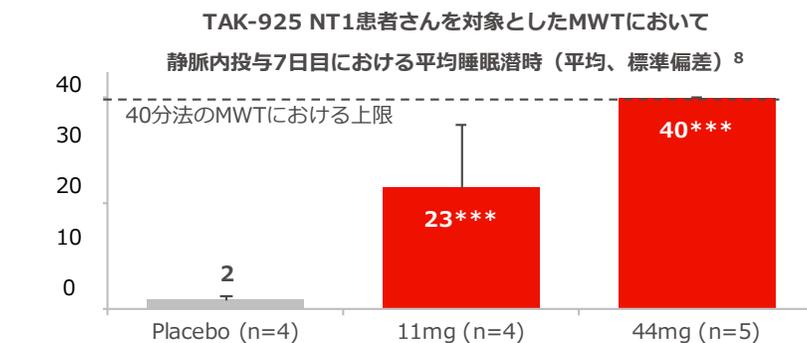
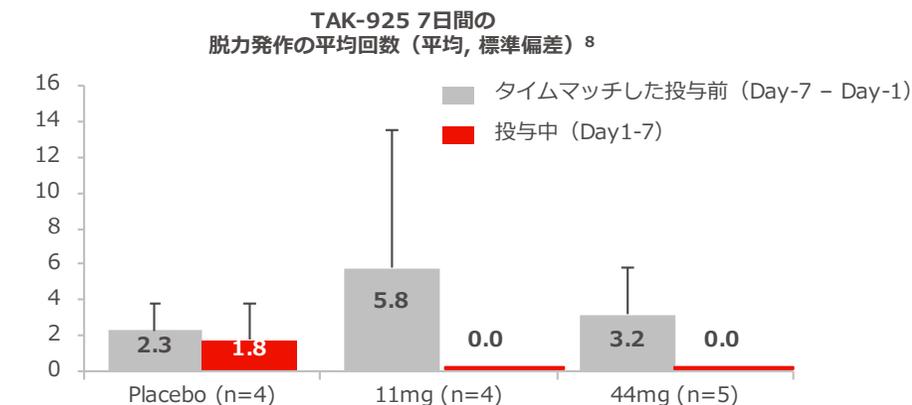
# オレキシン2受容体作動薬 (TAK-925/TAK-994)

ODD    BTB    FTB    SKG

ナルコレプシータイプ1 (NT1)をはじめとする睡眠障害の治療において変革をもたらす可能性

作用機序	オレキシン2受容体 (OX2R) 作動薬
アンメット ニーズ	<p>現在の治療法はNT1患者さんの病因であるオレキシン欠乏症に対処していない</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>基本的な治療法としては、日中の過度の眠気 (EDS)<sup>1</sup>に対する覚醒促進薬/刺激薬、情動脱力発作 (カタプレキシー) に対する抗うつ薬、夜間睡眠障害に対する鎮静薬の併用</li> <li>治療を受けているにもかかわらず、90%を上回る患者さんがEDS<sup>1</sup>を経験し、半数が自宅、学校、職場での日常生活に問題が生じるカタプレキシーを有する<sup>2</sup></li> </ul>
主要データ	<ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-925投与ではカタプレキシー発生なし：静脈投与でオレキシン2受容体作動薬 (OX2R) TAK-925を投与された患者さんでは、投与中にカタプレキシーは確認されず<sup>3</sup></li> <li>さらに、NT1とNT2<sup>5</sup>の患者さんにおいて、投与7日目のMWT<sup>4</sup>で効果を確認</li> <li>NT1、NT2、交代勤務睡眠障害におけるTAK-925のPOCデータを公表。IH<sup>6</sup>およびOSA<sup>6</sup>のデータは今後公表予定</li> </ul>
市場機会	NT1：全世界の有病率は1万人あたり2~6人、米国では成人の総有病者数は約13.5万人、主要市場 (米国、欧州主要5カ国、日本、中国) <sup>7</sup> では約70万人
開発状況と マイルストーン	<ul style="list-style-type: none"> <li>初の経口OX2R作動薬であるTAK-994は、NT1およびNT2患者さんに対する臨床第2相試験の被験者登録中。最終データの目標時期は2021年度下期を想定</li> <li>2つ目の経口OX2R作動薬であるTAK-861の臨床試験を、2020年度下期に開始予定</li> </ul>

## NT1におけるプルーフオブコンセプト試験：7日間反復投与<sup>3</sup>



主な適応症はNT1である。覚醒が求められ、かつ・あるいは、オレキシンがその病態生理に関連している、ナルコレプシータイプ2、特発性過眠症などの疾患での、OX2R作動薬のその他の病態における使用について検討を継続

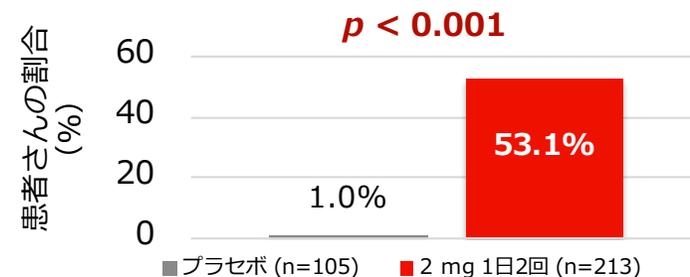
1. EDS: 日中の過度の眠気  
 2. Maski, K et al. 2017, J Clin Sleep Med, Mar 15; 13(3): 419-425  
 3. 2020年9月22日~24日に開催された欧州睡眠学会2020 Virtual Congressで発表  
 4. MWT: 覚醒の持続性を評価する試験  
 5. NT2: ナルコレプシータイプ2  
 6. IH: 特発性過眠症、OSA: 閉塞性睡眠時無呼吸症候群  
 7. 一般的に、診断には5~15年かかってしまう  
 8. 観察された平均値および標準偏差 \*\*\*: プラセボと比較してp値<0.001

## 好酸球性食道炎に対する初のFDA承認治療薬となるべく予定どおりに進捗中

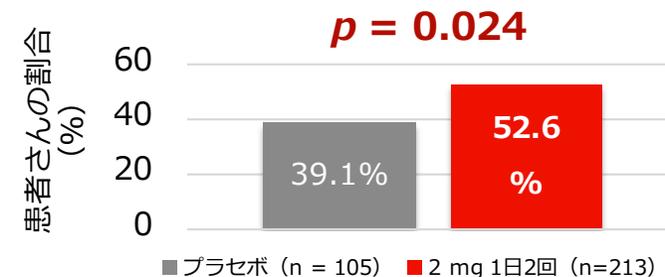
<b>作用機序</b>	好酸球性食道炎 (EoE) に対する経口ブデゾニド粘稠性懸濁液
<b>アンメット ニーズ</b>	<p><b>好酸球性食道炎に対して米国で承認された薬剤はない</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>好酸球性食道炎はしばしば嚥下障害 “dysphagia” や胸やけを引き起こし、青年期の患者さんではしばしば嘔吐や消化管の痛みを生じる。患者さんは食事に関連する社会環境を避けるようになるため、身体的、精神的に大きな負担となりうる</li> <li>標準治療は、食物除去、プロトンポンプ阻害薬の適応外使用、ステロイド<sup>1</sup></li> <li>疾患に対する認識の低さ、症状の曖昧さ、および症状を隠すという患者さんの適応行動のために、診断に長い時間を要することがしばしばある</li> </ul>
<b>主要データ</b>	<p>成人および青年期を含む最大規模のグローバルなEoE臨床試験プログラム</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>12週間のピボタル試験 (301試験) では、プラセボと比較して<b>統計学的に有意な組織学のおよび症状の改善</b>が示された</li> </ul>
<b>市場機会</b>	米国で患者さん数15万人以上と急速に増加中
<b>開発状況と マイルストーン</b>	<p>2020年度 好酸球性食道炎承認 (米国)<sup>4</sup></p> <p>2021年度 上市 (米国)</p> <p>2022年度</p> <p>2023年度</p> <p>2024年度</p>

12週データは顕著な組織学のおよび症状の改善を示す

**12週時点での組織学的改善率**  
(生検組織の好酸球が強拡大視野あたりピークで6個以下)



**12週時点での症状改善率**  
(DSQスコア<sup>3</sup>の30%以上の低下)



82 | 1. Gastroenterology 2020; 158: 1776 – 1786. In patients with EOE, the AGA/JTF recommend topical glucocorticosteroids over no treatment. Swallowed use of glucocorticoids intended for asthma (e.g., home or compounded thickening of budesonide solution, or swallowing fluticasone aerosol).  
2. Eos/hpf: 高倍率視野あたりの好酸球、BID: 1日2回、SOC: 標準治療、NDA: 新薬承認申請

3. DSQスコア: 嚥下障害症状質問票患者回答アウトカムスコア  
4. 2020年度第4四半期もしくは2021年度第1四半期の早い時期に承認予定

# TAK-003

## 過去最悪のペースで感染拡大する蚊媒介性ウイルス疾患であるデング熱への有力なアプローチ

TAK-003臨床第3相試験データ: 24カ月の追跡調査<sup>5</sup>

<b>作用機序</b>	弱毒生2型デングウイルスをベースとした四価デング熱ワクチン候補
<b>アンメット ニーズ</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>デング熱は100カ国以上で流行、毎年の推定感染者数は3億9千万人<sup>1</sup></li><li>重症型デング熱は、一部のアジアおよびラテンアメリカ諸国において重篤疾患および死亡の主要原因<sup>2</sup>。デング熱に特化した治療法はなく、対症療法のみである<sup>1</sup></li><li>市販されているワクチンは1種類のみで、接種対象者は9~16歳の<b>デングウイルス感染歴を有する者に限定</b></li></ul>
<b>主要データ</b>	80.2% : 接種12カ月後の追跡調査時（主要評価項目）における症候性デング熱の予防に対するワクチン有効性（VE） <sup>3</sup> <ul style="list-style-type: none"><li>90.4% : 接種18カ月後のデング熱関連入院の減少率（副次評価項目）<sup>4</sup></li><li>デングウイルス感染歴の有無にかかわらず同程度の有効性（ベースラインでの血清反応陽性群と血清反応陰性群でそれぞれ有効性76.1%、66.2%）（副次評価項目）<sup>4</sup></li><li>TAK-003は現在まで重要な安全性リスクはなく、概ね良好な忍容性を確認<sup>3,4,5</sup></li></ul>
<b>市場機会</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>流行地域における人口増加により、2080年までにデング熱のリスクにさらされる人口が60億人以上に達する見込み<sup>6</sup></li><li>デング熱への高い関心があり、デング熱疾患の重症化リスクへの認知度も高い</li><li>中所得国がデング熱による影響・経済的負担の約90%を被っている<sup>7,8</sup></li></ul>
<b>開発状況と マイルストーン</b>	臨床第3相試験から得られた36カ月間のデータ (H2) 2020年度 → 2021年度 → 2022年度 → 2023年度 → 2024年度 1stウェーブ流行国と米国での初の承認 2ndウェーブの国々：最初の承認・発売 欧州で初めて承認 1stウェーブ流行国、米国、欧州での発売 3rdウェーブの国々：承認・発売見込 (2024年度以降)

<b>ウイルス学的に確認されたデング熱（VCD）に対する全般的有効性</b>	72.7% (67.1, 77.3)
<b>入院VCDに対する全般的有効性</b>	89.2% (82.4, 93.3)
<b>ベースライン血清反応陰性</b>	67.0% (53.6, 76.5)
<b>ベースライン血清反応陽性</b>	74.8% (68.6, 79.8)
<b>DENV-1</b>	69.0% (57.1, 77.5)
<b>DENV-2</b>	90.8% (85.6, 94.1)
<b>DENV-3</b>	54.4% (34.0, 64.2)
<b>DENV-4</b>	50.4% (-19.3, 79.3)

重要な安全性リスクは確認されていない

- TAK-003の安全性および有効性プロファイルを十分に見極めるため、より長期のデータを集積中
- 追加接種の必要性について、TIDES試験にて評価予定

1. WHO. Dengue and Severe Dengue. <https://www.who.int/news-room/fact-sheets/detail/dengue-and-severe-dengue>  
2. Halstead S, Wilder-Smith A. Severe dengue in travelers: pathogenesis, risk and clinical management. *J Travel Med.* 2019;26(7).  
3. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children and adolescents. *N Engl J Med.* 2019; Retrieved November 2019  
4. Biswal S, et al. Efficacy of a tetravalent dengue vaccine in healthy children aged 4-16 years: a randomized, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet.* 2020. doi:10.1016/S0140-6736(20)30414-1  
5. Biswal S. Takeda's Tetravalent Dengue Vaccine – Two Years Efficacy Surveillance. Presented at 69th Annual Meeting, American Society of Tropical Medicine and Hygiene; November 2020.  
6. Messina, J.P., Brady, O.J., Golding, N. et al. The current and future global distribution and population at risk of dengue. *Nat Microbiol* 4, 1508–1515 (2019). <https://doi.org/10.1038/s41564-019-0476-8>  
7. Cases: Supplement to Stanaway JD, Shepard DS, Undurraga EA, et al. The global burden of dengue: an analysis from the Global Burden of Disease Study 2013. *Lancet Infect Dis* 2016; published online Feb 10. [http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099\(16\)00026-8](http://dx.doi.org/10.1016/S1473-3099(16)00026-8). Accessed Jan 14, 2019.  
8. Income Classification: World Bank: List of Economies (June 2018). <https://datahelpdesk.worldbank.org/knowledgebase/articles/906519-world-bank-country-and-lending-groups>

Better Health, Brighter Future

# 付録2 疫学データ





**オンコロジー**



**消化器系疾患**



**希少遺伝子疾患および血液疾患**

製品	適応症	グローバル 対象患者さん数 (2020年度)	含まれる地域
 <p>NINLARO® (ixazomib) capsules</p>	再発・難治性の多発性骨髄腫 (2L+)	約10.5万人 <sup>1</sup>	日本・米国・ 欧州主要5カ国・中国
 <p>ALUNBRIG™</p>	ALK陽性非小細胞肺癌	約1.4万人 [中国：約2.5万人以上] <sup>2</sup>	日本・米国・ 欧州主要5カ国 ・ [中国]
 <p>ADCETRIS® brentuximab vedotin BRINGING Hope TO Life</p>	ホジキンリンパ腫 – フロントライン、 自家幹細胞移植後の地固め療法、2L+;  T細胞リンパ腫 – 末梢性T細胞リンパ腫 および再発・難治性皮膚T細胞リンパ腫	約1.1万人 <sup>3</sup>	日本・欧州主要5カ国 ・ 中国
 <p>ICLUSIG® (ponatinib) tablets 45 mg, 15 mg</p>	2L+ 慢性骨髄性白血病、 急性リンパ性白血病	約2.4千人	米国

1. 添付文書で認められた再発難治性 2L+ 多発性骨髄腫の対象患者さん

2. ALK+であることが確認された患者さん

3. 添付文書で認められたCD30+の対象患者さん – 薬事承認されているステージIV/ITT フロントライン患者さんおよび高リスクホジキンリンパ腫を合わせたもの

出所：社内推計



**オンコロジー**

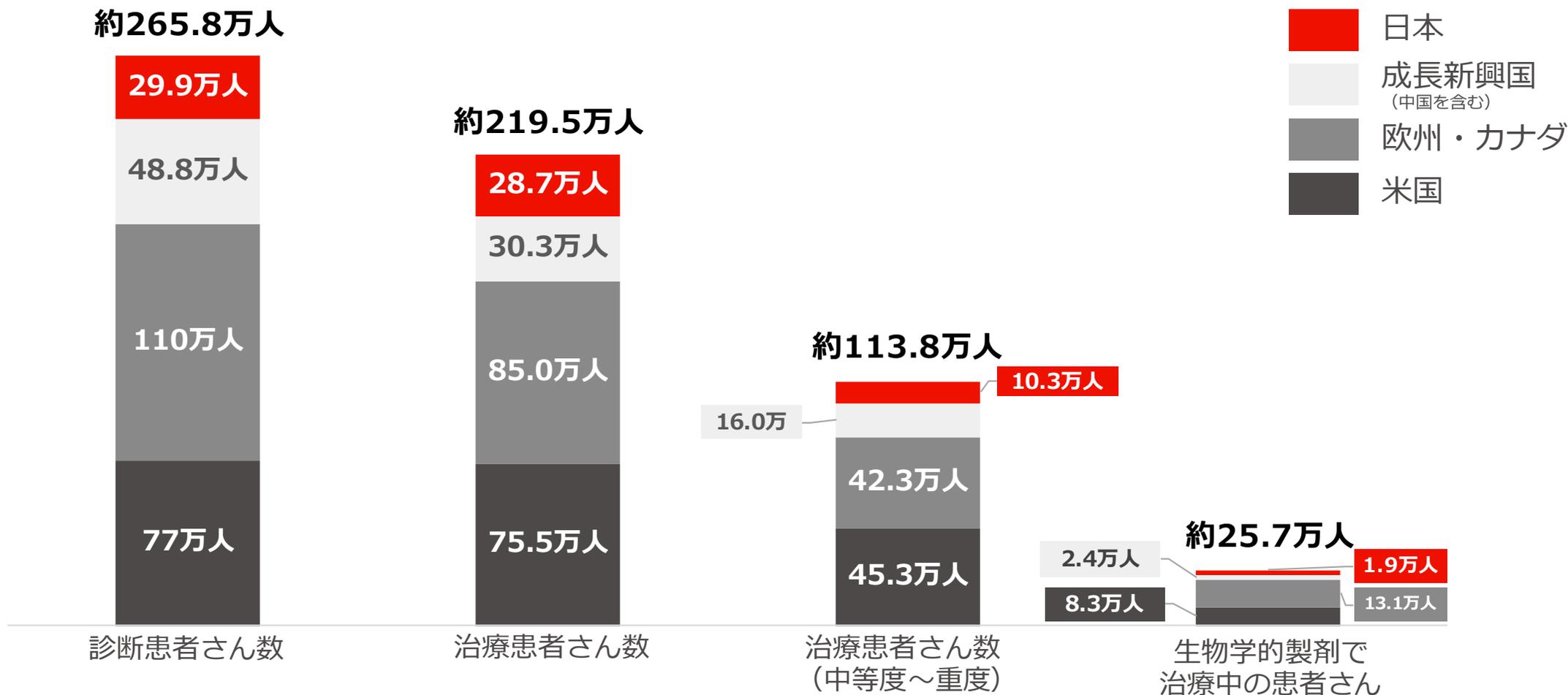


**消化器系疾患**

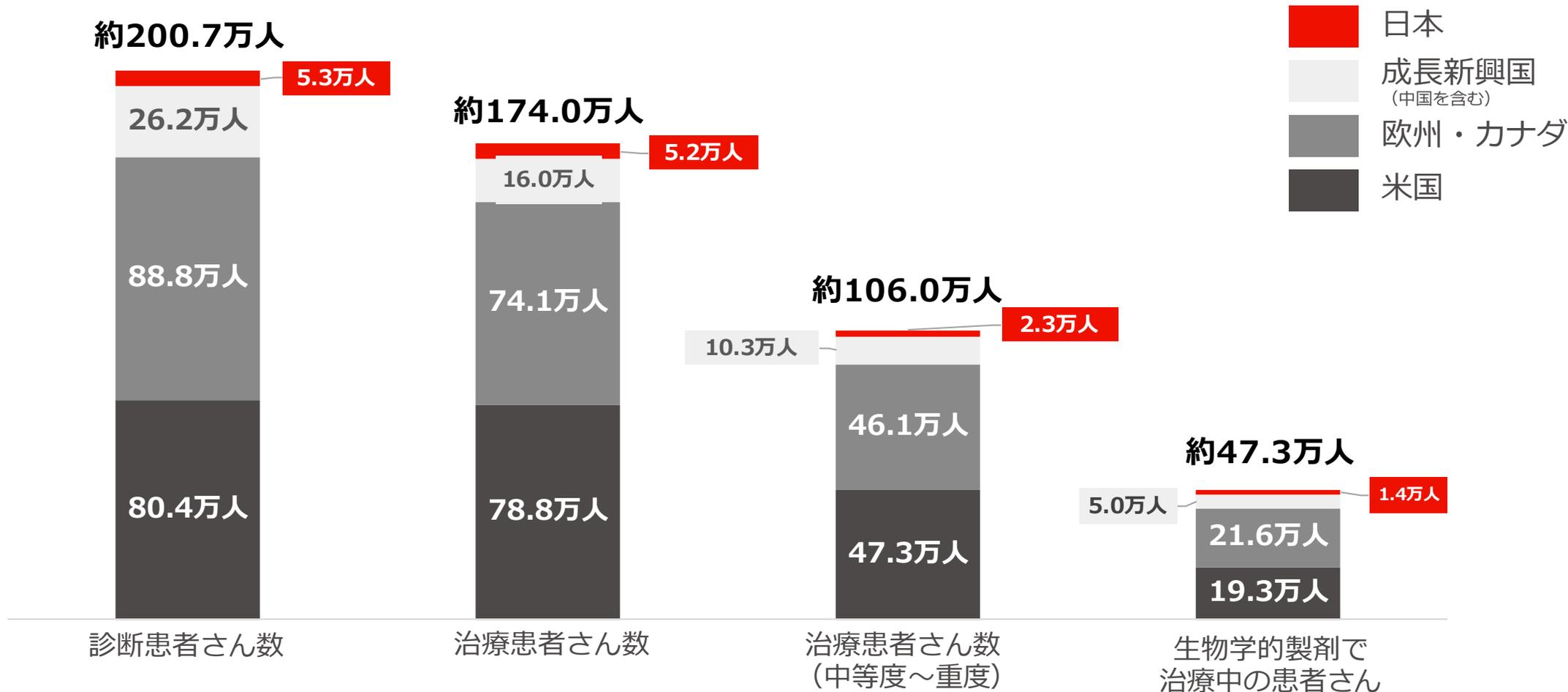


**希少遺伝子疾患および血液疾患**

# 潰瘍性大腸炎（UC）の疫学



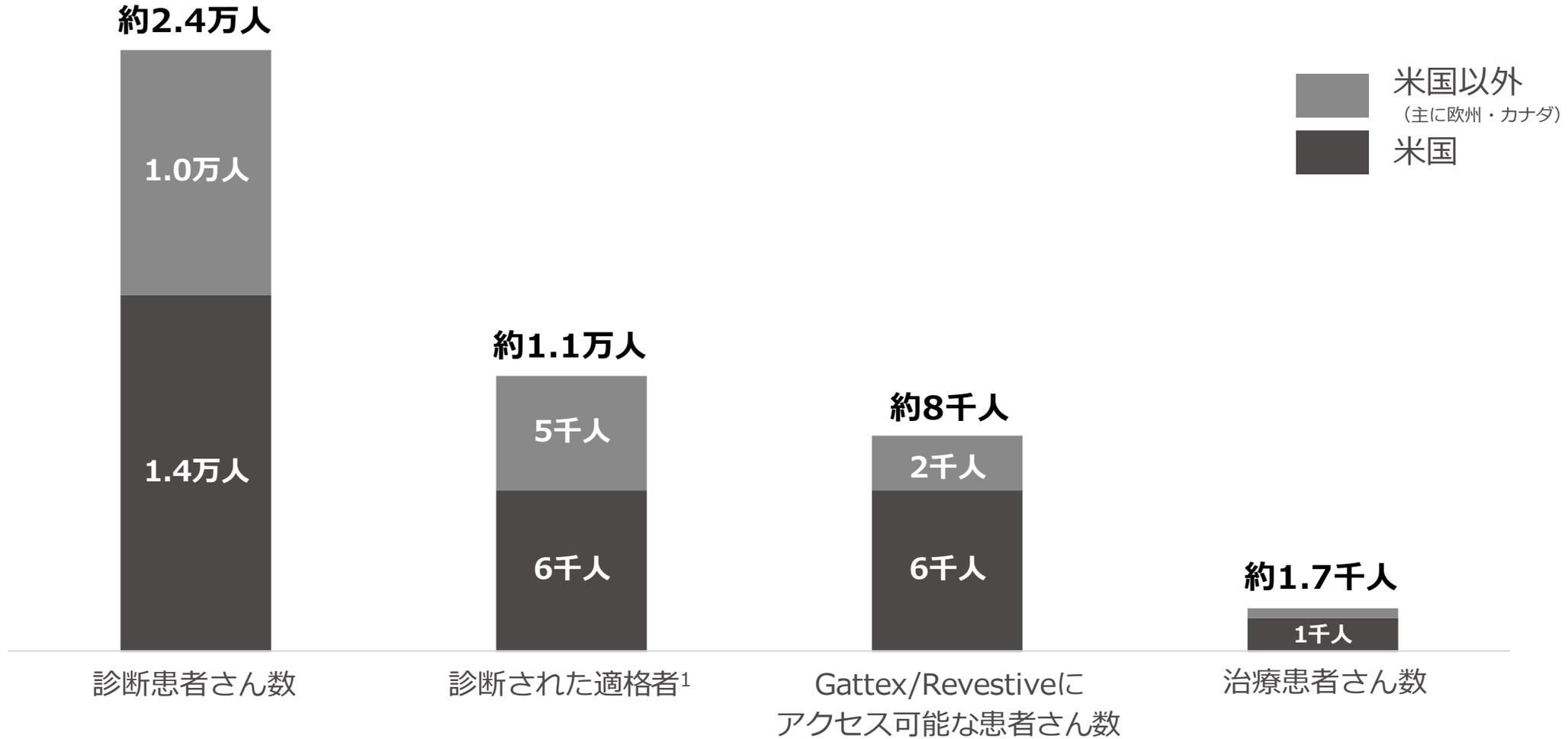
# クローン病（CD）の疫学



# 複合肛門周囲瘻（CPF）の疫学

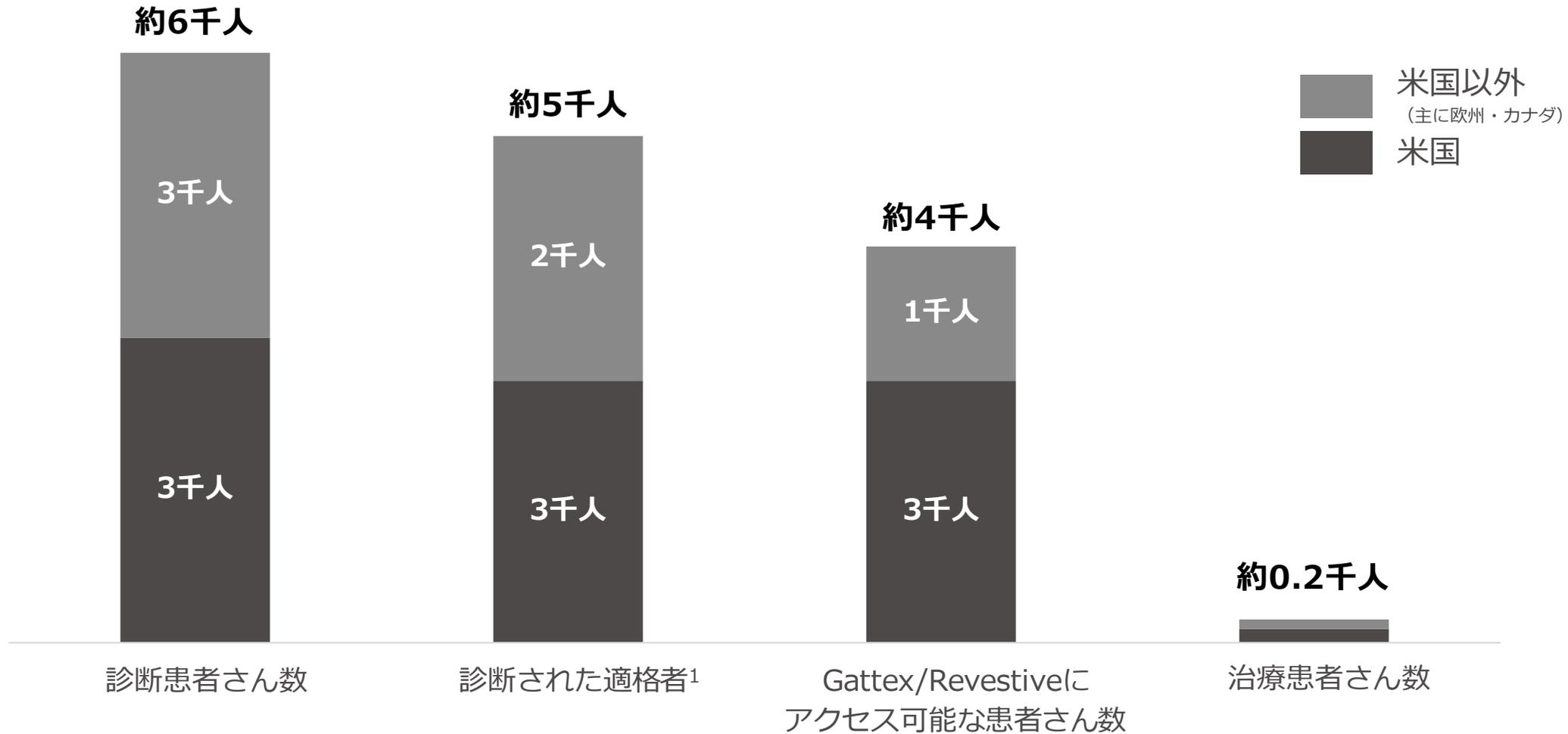


# 短腸症候群（SBS-IF）の疫学 - 成人適応



1. Revestive/Gattex 適格患者さん：5年以内に発生した悪性腫瘍によるSBSを除く  
出所：社内推計 注：四捨五入された数字

# 短腸症候群（SBS-IF）の疫学 - 成人適応



1. Revestive/Gattex 適格患者さん：5年以内に発生した悪性腫瘍によるSBSを除く  
出所：社内推計 注：四捨五入された数字



**オンコロジー**



**消化器系疾患**



**希少遺伝子疾患および血液疾患**

# 遺伝性血管性浮腫（HAE）の疫学

TAKHZYRO<sup>®</sup>  
(lanadelumab-lyo) injection



出所：社内推計 注：四捨五入された数字

1. ORE HAE：HAE疫学のグローバル概要 (<http://207.154.195.35/>)
2. 各国で精査された診断患者さん数および治療患者さん数

\*含まれる地域：

欧州・カナダ：カナダ、ドイツ、オーストリア、フランス、オランダ、ベルギー、  
イタリア、英国、スペイン、北欧地域、イスラエル

成長新興国：中国、ロシア、オーストラリア、ブラジル、メキシコ、コロンビア、アルゼンチン

# ハンター病の疫学： グローバル（インド、中国は含まず）

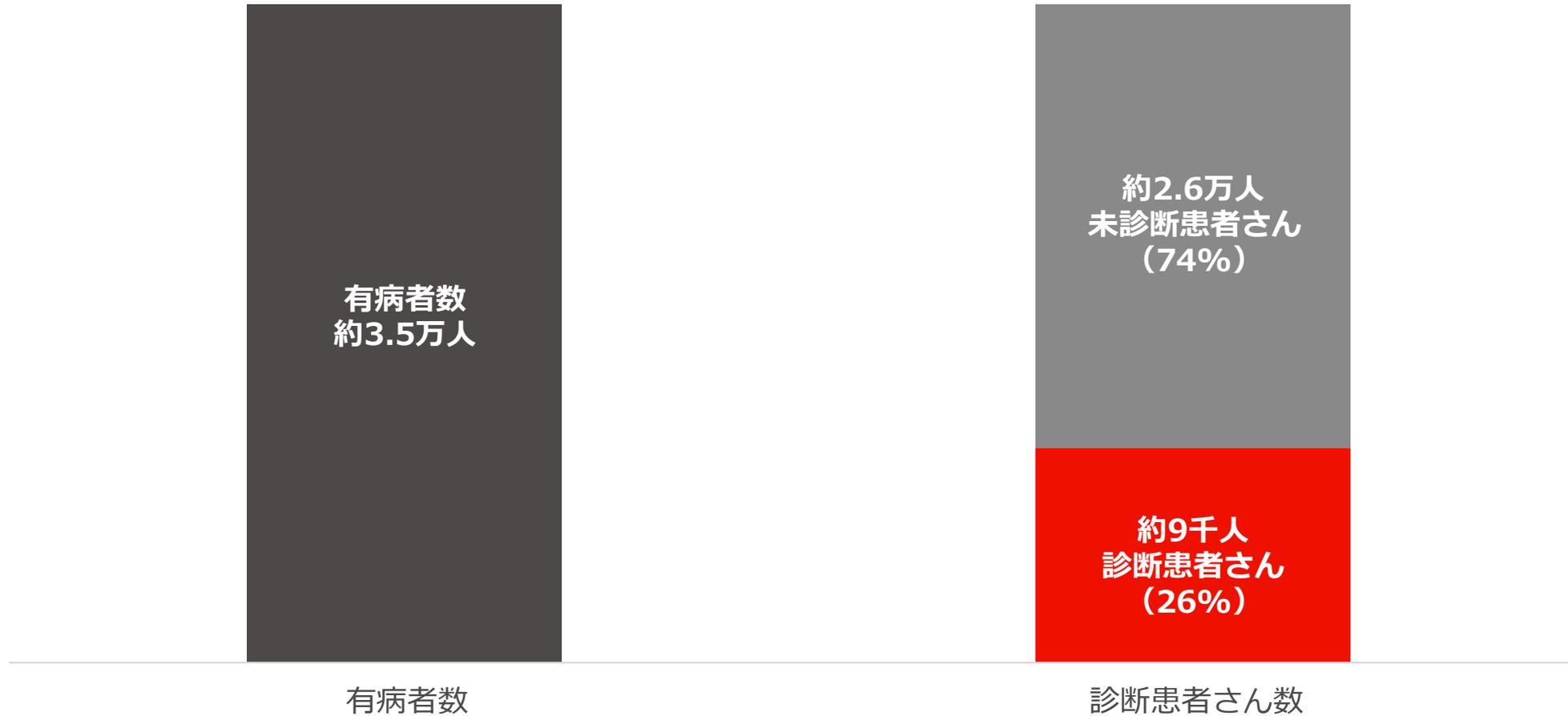
elaprase  
(idursulfase)



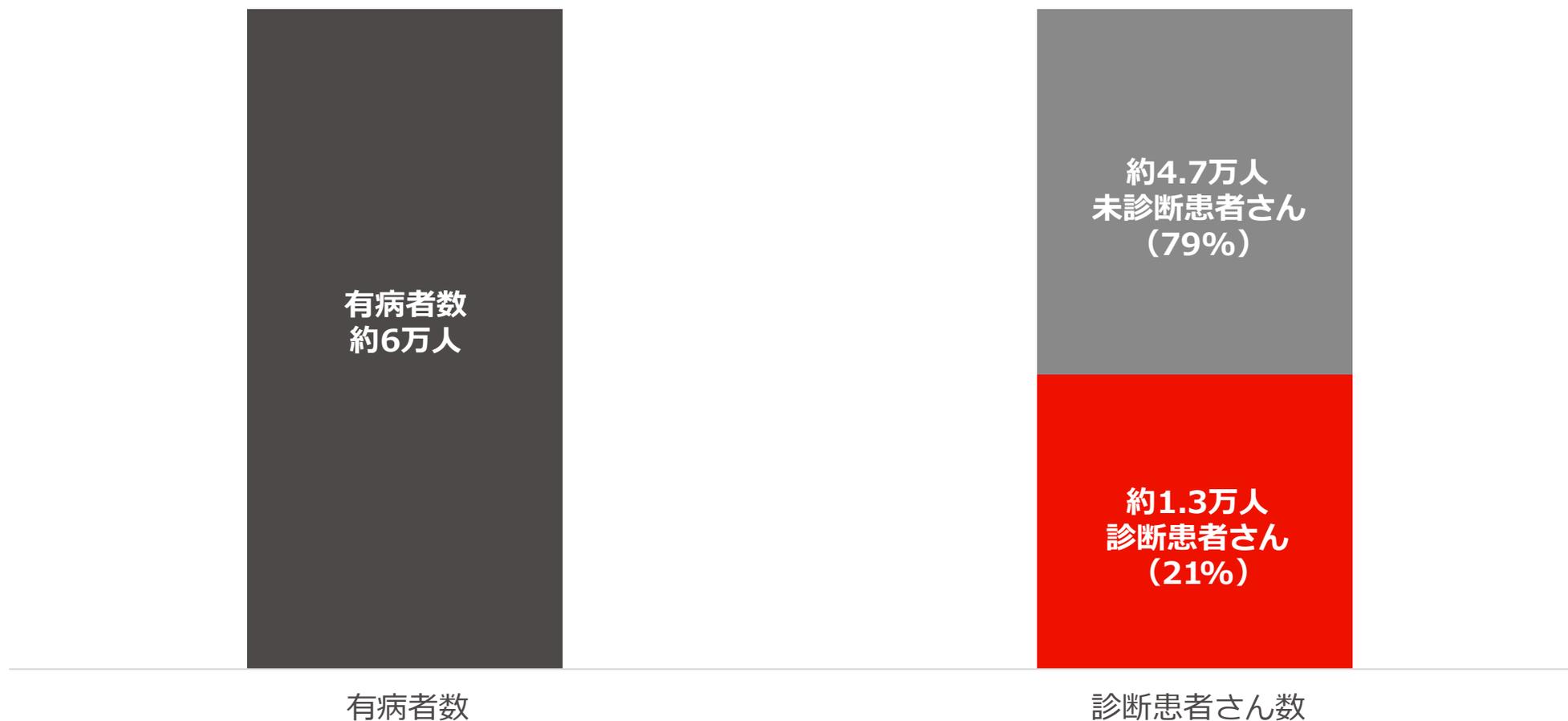
## ムコ多糖症2型患者さん数



# ゴーシェ病の疫学： グローバル（インド、中国は含まず）



# ファブリー病の疫学： 米国以外の地域（中国、インドは含まず）



# 慢性副甲状腺機能低下症の疫学：米国、欧州

成長新興国、日本、中国は含まない

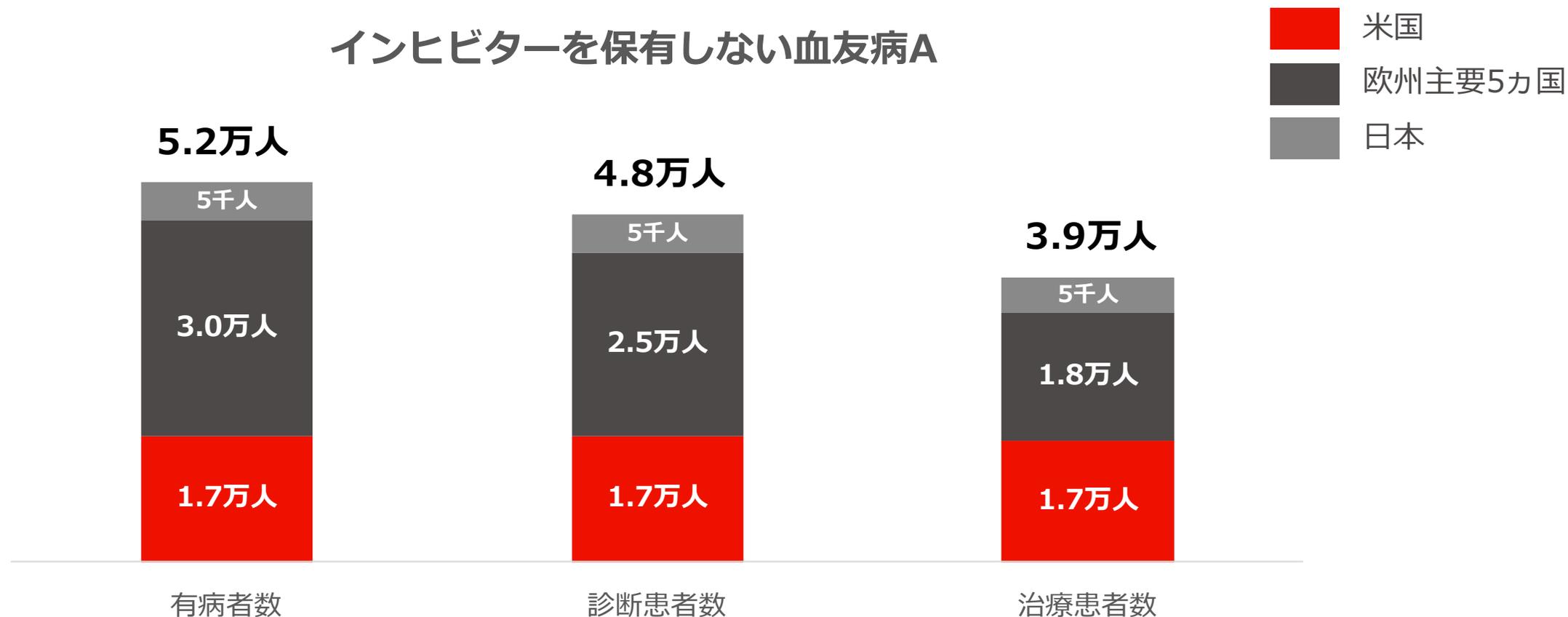
Natpara<sup>®</sup>  
(parathyroid hormone)  
for injection



約35万人

診断患者さん数

## インヒビターを保有しない血友病A



注: グラフでは、罹患率とはインヒビターを保有しない血友病Aの患者さん数を示す。発生率と人口に基づいて算出された米国の有病者数は、AIDSやC型肝炎などを併発していることによる高い死亡率を考慮していないため高い

Better Health, Brighter Future

# 付録3 臨床試験の概要



# 臨床試験サマリー



## ライフサイクルマネジメント<sup>1</sup>

## WAVE 1

## WAVE 2

<b>ONCOLOGY</b>	ALUNBRIG 1L ALK+ NSCLC	mobocertinib 2L NSCLC w/EGFR exon 20 insertion mutation	TAK-981 Multiple cancers	TAK-169 R/R multiple myeloma
	ALUNBRIG 2L ALK+NSCLC H2H with alectinib	mobocertinib 1L NSCLC w/EGFR exon 20 insertion mutation	TAK-981 Non-Hodgkin's lymphoma	TAK-252 bispecific solid tumors
	ICLUSIG TKI res. Chronic phase CML	pevonedistat HR-MDS	TAK-981 Solid tumors	TAK-102 CAR-T solid tumors
	ICLUSIG FL Ph+ ALL	pevonedistat Unfit AML	TAK-605: Multiple cancers	TAK-940 CAR-T CD19+ heme malignancy
	NINLARO Maintenance ND MM post-SCT (MM3)	TAK-007 CD19+ heme malignancies	TAK-573 Solid tumors	
	NINLARO Maintenance ND MM no-SCT (MM4)		TAK-573 R/R multiple myeloma	
NINLARO Maintenance no-SCT (MM6)		TAK-676 STING agonist solid tumors		
<b>RARE GENETIC &amp; HEMATOLOGY</b>	ADYNOVATE Pediatric Hemophilia A	maribavir R/R CMV infection in HSCT and SOT	mezagimab (TAK-079) ITP, MG	
	VONVENDI vWD Adult Prophylaxis, Peds	maribavir 1L CMV infection In HSCT	TAK-607 Complications of prematurity	
	TAKHZYRO HAE Pediatric	TAK-755 cTTP	TAK-755 iTTP	
	TAKHZYRO Bradykinin-mediated angioedema	TAK-611 MLD (IT)	TAK-755 SCD	
OBIZUR CHAWI surgery	TAK-609 Hunter CNS (IT)			
<b>NEUROSCIENCE</b>		TAK-994 Orexin 2-ag NT1 and NT2	WVE 120101/02 Huntington's Disease	
		TAK-925 Narcolepsy NT1 and other sleep disorders soticlestat Rare epilepsies – LGS, DS	TAK-341 Parkinson's Disease	
<b>GASTROENTEROLOGY</b>	ENTYVIO GvHD Prophylaxis	TAK-721 Eosinophilic Esophagitis	TAK-951 Post-op nausea & vomiting	
	ENTYVIO UC/CD SC		TAK-906 Gastroparesis	
	ENTYVIO Pediatric UC/CD		TAK-954 POGD	
	Alofisel Complex perianal Fistulas in CD Vonoprazan H. Pylori China		sibofimloc Post-Op CD	
<b>PDT</b>	HYQVIA CIDP	CoVlg-19 COVID-19 hyperimmune IV globulin		
	HYQVIA Pediatric PID			
	GLASSIA A1P1 deficient patients			
<b>VACCINES</b>		TAK-003 Dengue vaccine	TAK-214 Norovirus vaccine	
			TAK-426 Zika vaccine	



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# ALUNBRIG (BRIGATINIB): ALK INHIBITOR

Study	<u><a href="#">NCT02737501</a></u>	<u><a href="#">NCT03596866</a></u>
<b>Indication</b>	ALK-positive advanced lung cancer	ALK-positive non-small-cell lung cancer (NSCLC)
<b>Phase</b>	<b>Phase III ALTA-1L</b>	<b>Phase III ALTA-3</b>
<b># of Patients</b>	N = 275	N = 246
<b>Target Patients</b>	ALK+ locally advanced or metastatic NSCLC patients who have not previously been treated with an ALK inhibitor	Patients with ALK+ locally advanced or metastatic NSCLC who have progressed on crizotinib
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Brigatinib 180 mg QD with 7-day lead-in at 90 mg</li> <li>• Arm B: Crizotinib 250 mg BID</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Alunbrig 90 mg to 180 mg QD</li> <li>• Arm B: Alecensa 600 mg PO BID with food</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Progression-free survival (PFS) as assessed by blinded Independent Review Committee (bIRC)	Progression-Free Survival (PFS) as assessed by blinded Independent Review Committee (bIRC)

- Study start date: April 2016
- Primary completion date: July 2019

## Status

- Publications:
- Camidge DR, et al. N Engl J Med 2018;379(21): 2027-2039
  - Camidge DR, Kim HR, Ahn MJ, et al. J Clin Oncol 2020;38: 1-13
  - Garcia Campelo MR, et al. Ann Oncol 2020;31(suppl 4): 5844
  - Popat S, Kim HR, et al. Ann Oncol 2020;31(suppl 4): S840-S841

- Study Start Date: April 2019
- Estimated primary completion date<sup>1</sup>: FY21

# ICLUSIG (PONATINIB): *BCR-ABL INHIBITOR*

Study	<u><a href="#">NCT02737501</a></u>	<u><a href="#">NCT03596866</a></u>
<b>Indication</b>	Chronic myeloid leukemia (CML)	Ph+ acute lymphoblastic leukemia (ALL)
<b>Phase</b>	<b>Phase II OPTIC</b>	<b>Phase III Ph+ALLCON</b>
<b># of Patients</b>	N = 276	N = 230 - 320
<b>Target Patients</b>	Patients with resistant chronic phase chronic myeloid leukemia	Patients with newly-diagnosed Ph+ ALL
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ponatinib 45 mg once daily</li> <li>• Ponatinib 30 mg once daily</li> <li>• Ponatinib 15 mg once daily</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Cohort A: Ponatinib/reduced intensity chemotherapy until progressive disease (PD) or stem cell transplant (SCT)</li> <li>• Cohort B: Imatinib/reduced intensity chemotherapy until PD or SCT</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	≤1% BCR-ABL1 at 12 months (time frame: 12 months)	Number of participants with Minimal Residual Disease (MRD) - Negative Complete Remission (CR) [Time frame: From Cycle 1 through Cycle 3 (approximately 3 months) (Cycle length is equal to 28 days) ]
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: June 2015</li> <li>• Primary completion date: April 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: August 2018</li> <li>• Estimated primary completion date<sup>1</sup>: FY21</li> </ul>

# NINLARO (IXAZOMIB): ORAL PROTEASOME INHIBITOR

Study	<u><a href="#">NCT02181413</a></u>	<u><a href="#">NCT03596866</a></u>
<b>Indication</b>	Multiple myeloma maintenance post-stem cell transplant	Multiple myeloma (MM) maintenance non-stem cell transplant
<b>Phase</b>	<b>Phase III TOURMALINE-MM3</b>	<b>Phase III TOURMALINE-MM3</b>
<b># of Patients</b>	N = 652	N = 761
<b>Target Patients</b>	Patients with multiple myeloma following autologous stem cell transplant	Patients with newly-diagnosed MM not treated with stem cell transplantation
<b>Arms/Intervention</b>	<p>Arm A: Ixazomib</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cycles 1-4: Ixazomib 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> <li>• Cycles 5-26: Ixazomib 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> </ul> <p>Arm B: Placebo</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cycles 1-4: Placebo 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> <li>• Cycles 5-26: Placebo 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> </ul>	<p>Arm A: Ixazomib</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cycles 1-4: Ixazomib 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> <li>• Cycles 5-26: Ixazomib 3.0 mg or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> </ul> <p>Arm B: Placebo</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cycles 1-4: Placebo 3.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> <li>• Cycles 5-26: Placebo 3.0 or 4.0 mg PO days 1, 8, 15 / 28-day cycle</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary: Progression Free Survival (PFS)</li> <li>• Secondary: Overall survival (OS)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary: Progression Free Survival (PFS)</li> <li>• Secondary: Overall survival (OS)</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: July 2014</li> <li>• Primary completion date: April 2018</li> <li>• Interim OS analysis*: FY21; Final: FY24/25</li> </ul> <p>Publications:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Dimopoulos MA, et al. Lancet. 2019 Jan 19;393(10168): 253-264</li> <li>• Kaiser M, et al. Ann Hematol. 2020 Aug;99(8): 1793-1804</li> <li>• Hari P, et al. J Med Econ. 2018 Aug;21(8): 793-798</li> <li>• Schjesvold F, et al. Eur J Haematol. 2020 May;104(5): 443-458</li> <li>• Goldschmidt H, et al. Leukemia. 2020 Nov;34(11): 3019-3027</li> <li>• Paiva B, et al. Presentation at EHA 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: April 2015</li> <li>• Primary completion date: August 2019</li> <li>• Interim OS analysis<sup>1</sup>: FY22; Final FY24</li> </ul> <p>Publications:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Bringhen S, et al. Presentation at ASH 2020</li> <li>• Paiva B, et al. Presentation at ASH 2020</li> <li>• Dimopoulos MA, et al. <a href="https://ascopubs.org/doi/full/10.1200/JCO.20.02060">https://ascopubs.org/doi/full/10.1200/JCO.20.02060</a></li> </ul>

# NINLARO (IXAZOMIB): ORAL PROTEASOME INHIBITOR

<b>Study</b>	<b><u>NCT03173092</u></b>
<b>Indication</b>	Non-transplant eligible patients with newly diagnosed multiple myeloma
<b>Phase</b>	<b>Phase IV MM6</b>
<b># of Patients</b>	N = 160
<b>Target Patients</b>	Patients with multiple myeloma previously receiving a bortezomib-based induction. In-class (proteasome inhibitor) transition after 3 cycles of bortezomib-based therapy.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ixazomib 4 mg + lenalidomide 25 mg + dexamethasone 40 mg</li> <li>• Transition from a bortezomib based regimen to IRD (ixazomib, lenalidomide, dexamethasone) may allow the long term proteasome inhibition to be maximized while maintaining a manageable safety profile.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>Progression-free survival (PFS).</p> <p>Key secondary endpoints: time to next therapy (TTNT), relative dose intensity (RDI) of the oral regimen, overall survival (OS), electronic patient reported outcomes (ePRO) and actigraphy (activity/sleep) data.</p>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: September 2017</li> <li>• Primary completion date: FY26</li> </ul>

# MOBOCERTINIB (TAK-788): EGFR/HER2 EXON 20 INHIBITOR

Study	<a href="#">NCT02716116</a>	<a href="#">NCT04129502</a>
<b>Indication</b>	2L NSCLC exon 20 insertion mutation	1L NSCLC exon 20 insertion mutation
<b>Phase</b>	Registration enabling Phase II EXCLAIM	Phase III EXCLAIM-2
<b># of Patients</b>	N = 341	N = 318
<b>Target Patients</b>	2L+ NSCLC harboring EGFR in-frame exon 20 insertion mutations	1L NSCLC harboring EGFR in-frame exon 20 insertion mutations
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Single arm: Mobocertinib 160 mg QD</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Arm A: Mobocertinib 160 mg QD</li> <li>Arm B: Platinum-based chemotherapy</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Confirmed ORR assessed by IRC	PFS as assessed by blinded Independent Review Committee (IRC)
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: April 2016</li> <li>Primary completion date: May 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: January 2020</li> <li>Estimated primary completion date<sup>1</sup>: FY21</li> </ul>

# PEVONEDISTAT (TAK-924): NEDD8-ACTIVATING ENZYME (NAE) INHIBITOR

Study	<a href="#">NCT03268954</a>	<a href="#">NCT04090736</a>
Indication	HR MDS	Unfit AML
Phase	Phase III PANTHER	Phase III PEVOLAM
# of Patients	N = 450	N = 466
Target Patients	Patients with higher risk myelodysplastic syndromes (HR MDS), chronic myelomonocytic leukemia or low-blast acute myelogenous leukemia (LB AML)	Patients with acute myeloid leukemia (AML) not eligible for INTENSIVE chemotherapy
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Pevonedistat 20 mg/m<sup>2</sup> (IV) on days 1, 3, 5; Azacitidine (AZA) 75 mg/m<sup>2</sup> (SC) on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycles</li> <li>• Arm B: AZA 75 mg/m<sup>2</sup> SC on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycle</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Pevonedistat 20 mg/m<sup>2</sup> (IV) on days 1, 3, 5; Azacitidine (AZA) 75 mg/m<sup>2</sup> (SC) on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycles</li> <li>• Arm B: AZA 75 mg/m<sup>2</sup> SC on a 5-on/2-off [weekend]/2-on schedule in 28-day cycle (IV AZA can be administered for any patients who have non-tolerated local reactions)</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Primary: Event-free survival (EFS) Secondary: Overall survival (OS)	Overall survival (OS)
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: December 2017</li> <li>• Estimated primary completion date<sup>1</sup>: FY20/21</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: August 2019</li> <li>• Estimated primary completion date<sup>2</sup>: FY24</li> </ul>

# TAK-007: CD19 CAR NK

<b>Study</b>	<b><u>NCT03056339</u><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Relapsed refractory B-lymphoid malignancies
<b>Phase</b>	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 36
<b>Target Patients</b>	Patients with relapsed and refractory CD19+ B lymphoid malignancies
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Fludarabine 30 mg/m<sup>2</sup> by vein on days -5 to -3</li> <li>• Cyclophosphamide 300 mg/m<sup>2</sup> by vein on days -5 to -3</li> <li>• Mesna 300 mg/m<sup>2</sup> by vein on days -5 to -3</li> <li>• iC9/CAR.19/IL15-Transduced CB-NK Cells: Infusion of iC9/CAR.19/IL15-transduced CB-NK cells on Day 0 by vein; starting dose: 10E5</li> <li>• AP1903: If participant has graft-versus-host disease (GvHD) or cytokine release syndrome after the NK cell infusion, they will receive AP1903 0.4 mg/kg administered as an intravenous infusion.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety and efficacy
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: June 2017</li> <li>Publication: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Liu E, Marin D, Banerjee P, et al. N Engl J Med 2020;382(6): 545-553</li> </ul> </li> </ul>

# TAK-981: SUMO-ACTIVATING ENZYME<sup>1</sup> INHIBITOR

Study	<a href="#">NCT03648372</a>	<a href="#">NCT04074330</a>
<b>Indication</b>	Solid tumors, hematologic malignancies	Non-Hodgkin’s lymphoma (NHL)
<b>Phase</b>	Phase I	Phase I/II
<b># of Patients</b>	N = 80	N = 130
<b>Target Patients</b>	Adult participants with advanced or metastatic solid tumors or relapsed/refractory hematologic malignancies	Patients with relapsed/refractory CD-20 positive NHL
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-981, intravenously, administered as 60 minute-infusion, once on Days 1, 4, 8, and 11 for 2 consecutive weeks, followed by 1 week rest in a 21-day treatment cycle</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Phase 1, aNHL/iNHL: TAK-981 (10-160 mg) + rituximab 375 mg/m<sup>2</sup></li> <li>Phase 2, Cohort A: r/r DLBCL progressed to CAR T-cell therapy</li> <li>Phase 2, Cohort B: r/r DLBCL with no CAR T-cell prior therapy</li> <li>Phase 2, Cohort C: r/r FL progressed to systemic therapies</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety, tolerability and PK	Safety, tolerability and RP2D
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2018</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2019</li> </ul>

# TAK-981: *SUMO-ACTIVATING ENZYME<sup>1</sup> INHIBITOR*

<b>Study</b>	<b><u>NCT04381650</u></b>
<b>Indication</b>	Solid tumors
<b>Phase</b>	<b>Phase Ib/II</b>
<b># of Patients</b>	N = 101
<b>Target Patients</b>	Patients with select advanced or metastatic solid tumors
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Escalating doses of TAK-981 with starting dose of 40 mg, intravenous (IV) infusion, on Days 1, 4, 8 and 11 in each 21-day treatment cycle and pembrolizumab 200 mg, IV infusion, as a fixed dose every 3 weeks in 21-day treatment cycle until RP2D is determined (for a maximum of 24 months).</li> <li>TAK-981 at RP2D as IV infusion on Days 1, 4, 8 and 11 in each 21-day treatment cycle up to disease progression or 12-months and pembrolizumab 200 mg IV infusion as a fixed dose every 3 weeks in 21-day treatment cycle for a maximum of 24 months.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety and tolerability
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2020</li> </ul>

# TAK-605: ONCOLYTIC VIRUS ENCODING TRANSGENES FOR FLT3 LIGAND, ANTI-CTLA-4 ANTIBODY, AND IL-12 CYTOKINE

<b>Study</b>	<b><a href="#">NCT04301011</a><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Solid tumors
<b>Phase</b>	Phase I/IIa
<b># of Patients</b>	N = 84
<b>Target Patients</b>	Patients with advanced solid tumors
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: TBio-6517 (TAK-605) dose escalation administered alone by direct injection into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.</li> <li>• Arm B: TBio-6517 and pembrolizumab Dose escalation of TBio-6517 administered in combination with pembrolizumab. TBio-6517 will be directly injected into tumor(s) x 4. Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months. Pembrolizumab will be administered beginning at Day 8 via intravenous (IV) infusion every 3 weeks for up to 24 months.</li> <li>• TBio-6517 and pembrolizumab in MSS-CRC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with microsatellite stable colorectal carcinoma (MSS-CRC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.</li> <li>• TBio-6517 and pembrolizumab in TNBC Doses of TBio-6517 will be administered by direct injection into tumor(s) x 4 in combination with pembrolizumab beginning at Day 8 given every 3 weeks for up to 24 months in patients with triple negative breast cancer (TNBC). Booster injections of TBio-6517 are permitted for up to 24 months.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Recommended Phase 2 dose (RP2D)
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: August 2020</li> </ul>

# TAK-573: FIRST-IN-CLASS ANTI-CD38/ATTENUATED IFNA FUSION PROTEIN

Study	<a href="#">NCT04157517</a>	<a href="#">NCT03215030</a>
Indication	Solid tumors	Relapsed/refractory multiple myeloma
Phase	Phase I	Phase I/2
# of Patients	N = 86	N = 151
Target Patients	Patients with locally advanced or metastatic solid tumors	Patients with relapsed/refractory multiple myeloma
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-573 0.1 to 6 milligram per kilogram (mg/kg), infusion, intravenously, once on Day 1 of each 21-days treatment cycle for up to 1 year. Administration of TAK-573 on Day 1 of each 21-days treatment cycle may also be evaluated.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Phase 1 cohort: TAK-573 0.001 to 14 milligram per kilogram (mg/kg), infusion, intravenously, once on Days 1, 8, 15 and 22 of each 28-day treatment cycle up to 2 cycles, followed by once on Days 1 and 15 of each 28-day treatment cycle up to 4 cycles, followed by once on Day 1 of each 28-day treatment cycle until treatment discontinuation.</li> <li>Phase 2 cohort: TAK-573 TBD as a single agent. Participants in at least 1 cohort will receive TAK-573 TBD and dexamethasone 40 mg, orally, once weekly of each 28-day treatment cycle until treatment discontinuation.</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and tolerability	Safety and tolerability
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: December 2019</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2017</li> </ul>

# TAK-676: STING AGONIST

<b>Study</b>	<b><u>NCT04420884</u></b>
<b>Indication</b>	Solid tumors
<b>Phase</b>	<b>Phase I</b>
<b># of Patients</b>	N = 76
<b>Target Patients</b>	Adult patients with advanced or metastatic solid tumors
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm 1: Dose escalating single agent TAK-676, starting with a safety lead-in at 0.1 mg IV on Days 1, 8, 15 in 21-day treatment cycles, and capping at 2.5 mg IV on Days 1, 8 and 15 in a 21-day cycle.</li> <li>• Arm 2: Dose escalating TAK-676 along the above parameters in combination with fixed dose pembrolizumab at 200 mg IV administered on D1 in a 21-day cycle.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary endpoints: Safety and tolerability</li> <li>• Secondary objectives: Recommended Phase 2 dose (RP2D), overall response rate (ORR)</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: July 2020</li> </ul>

# TAK-169: ANTI-CD38 ANTIBODY-SLTA<sup>1</sup> TOXIN

<b>Study</b>	<b><u>NCT04017130</u></b>
<b>Indication</b>	Relapsed or refractory multiple myeloma
<b>Phase</b>	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 102
<b>Target Patients</b>	Patients with relapsed or refractory multiple myeloma
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Dose escalation arms: TAK-169 50 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 100 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 200 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 335 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 500 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 665 mcg/kg Once Weekly; TAK-169 TBD Once Every Two Weeks;</li> <li>• Expansion arms: Daratumumab (R/R) cohorts (once weekly and once every 2 weeks TAK-169 administration) and an anti-CD38 therapy naive cohort (once weekly TAK-169 administration). The starting dose for each expansion cohort may be the MTD/RP2D<sup>2</sup> or a recommended dose below the MTD determined during dose escalation after review of the available safety, efficacy, PK, and PD data.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety, tolerability, PK and efficacy
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: February 2020</li> </ul>

# TAK-252: PD1-FC OX40L ARC

<b>Study</b>	<a href="#">NCT03894618<sup>1</sup></a>
<b>Indication</b>	Advanced solid tumors or lymphomas
<b>Phase</b>	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 87
<b>Target Patients</b>	Patients with advanced solid tumors or lymphomas
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-252 (SL-279252) is a first-in-class agonist redirected checkpoint (ARC) fusion protein (FP) consisting of the extracellular domains of human programmed cell death 1 (PD- 1) and OX40L, linked by a central Fc domain (PD1-Fc-OX40L).</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety, maximum tolerated dose (MTD). Recommended Phase 2 dose (RP2D), preliminary antitumor activity by iRECIST, immunogenicity and PK characterization of TAK-252
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: March 2019</li> </ul>

# TAK-102: GPC3 CAR-T

<b>Study</b>	<b><u>NCT04405778</u><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Solid tumors
<b>Phase</b>	<b>Phase I</b>
<b># of Patients</b>	N = 18
<b>Target Patients</b>	Adult patients with GPC3-expressing previously treated solid tumors
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Cohort 1: <math>1 \times 10^7</math> CAR (+) cells/body [starting dose]</li> <li>• Cohort 2: <math>1 \times 10^8</math> CAR (+) cells/body</li> <li>• Cohort 3: <math>1 \times 10^9</math> CAR (+) cells/body</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary endpoint: Incidence of dose-limiting toxicities, treatment-emergent adverse events (AEs) and AEs of clinical interest</li> <li>• Primary objective: To evaluate the safety and tolerability of TAK-102 and to determine the recommended Phase 2 dose of TAK-102</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: July 2020</li> </ul>

# TAK-940: CD19 CAR-T

<b>Study</b>	<b><u>NCT04464200</u><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Relapsed/refractory B-cell cancers
<b>Phase</b>	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 30
<b>Target Patients</b>	Adult patients with relapsed or refractory B-cell malignancies
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>19(T2)28z1xx CAR T cells Cohorts of 3-6 patients will be infused with escalating doses of 19(T2)28z1xx CAR T cells to establish the RP2D. There are 4 planned flat-dose levels: 25x10<sup>6</sup>, 50 x 10<sup>6</sup>, 100 x 10<sup>6</sup>, and 200 x 10<sup>6</sup> CAR T cells and one de-escalation dose: 12.5 x 10<sup>6</sup> CAR T cells. A standard 3+3 dose escalation design will be implemented starting from dose 1.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Recommended Phase 2 dose (RP2D)
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2020</li> </ul>



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# ADYNOVATE (TAK-660): RECOMBINANT, PEGYLATED ANTIHEMOPHILIC FACTOR

希少遺伝子疾患および血液疾患

<b>Study</b>	<b><u>NCT02615691</u></b>
<b>Indication</b>	Hemophilia A
<b>Phase</b>	<b>Phase III</b>
<b># of Patients</b>	N = 120
<b>Target Patients</b>	Previously untreated patients (PUPs) < 6 years with severe hemophilia A (FVIII < 1%)
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Single group assignment</li></ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>The primary objective is to determine safety including immunogenicity of Adynovate (TAK-660/BAX 855) based on the incidence of inhibitor development to FVIII (<math>\geq 0.6</math> Bethesda unit (BU)/mL using the Nijmegen modification of the Bethesda assay).</p> <p>Safety</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1. To determine the immunogenicity of Adynovate in terms of binding IgG and IGM antibodies to FVIII, PEG-FVIII and PEG</li><li>2. To determine the safety of Adynovate based on adverse events (AEs) and serious adverse events (SAEs)</li></ol> <p>Hemostatic Efficacy</p> <ol style="list-style-type: none"><li>3. To assess the efficacy of prophylactic treatment with Adynovate</li><li>4. To characterize the efficacy of Adynovate in the control of bleeding episodes</li></ol> <p>Pharmacokinetics</p> <ol style="list-style-type: none"><li>6. To determine the incremental recovery (IR) of Adynovate at baseline and over time</li><li>7. To determine half-life of Adynovate at baseline (optional)</li></ol>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Study start date: November 2015</li></ul>

# VONVENDI (TAK-577): RECOMBINANT VON WILLEBRAND FACTOR

Study	<a href="#">NCT02973087</a>	<a href="#">NCT02932618</a>
Indication	Adult Prophylaxis	Pediatric On-demand and Elective Surgery
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 22	N = 27 (On-demand) N = 12 (Elective Surgery)
Target Patients	Severe von Willebrand Disease	Severe von Willebrand Disease
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Transitioning from on-demand</li> <li>• Arm B: Switching from prophylactic treatment with pdVWF</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: On-demand</li> <li>• Arm B: Elective and emergency surgery</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Annual Bleed Rate (ABR) <math>\leq</math> subject's historical ABR for spontaneous bleeding episodes</li> <li>• Key secondary endpoint: Additional efficacy of prophylactic treatment</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Hemostatic efficacy and safety of rVWF, with or without ADVATE, in the treatment and control of nonsurgical bleeding events</li> <li>• Key secondary endpoint: Hemostatic efficacy assessed after the last perioperative rVWF infusion</li> </ul>
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2017</li> <li>• Primary completion date: August 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2016</li> <li>• Estimated primary completion date: FY22</li> </ul>

# TAKHZYRO (LANADELUMAB): PLASMA KALLIKREIN (PKAL) INHIBITOR

Study	<a href="#">NCT04070326</a>	<a href="#">NCT04206605</a>
Indication	Hereditary angioedema (HAE) pediatric	Non-histaminergic angioedema with normal C1-Inhibitor
Phase	Phase III SPRING	Phase III CASPIAN
# of Patients	N = 20	N = 75
Target Patients	Type I and Type II hereditary angioedema, ages 2 to <12 yo	Non-histaminergic bradykinin-mediated angioedema (BMA) with normal C1-inhibitor
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>Lanadelumab 150mg; q4wks ages 2 to &lt; 6, q2wks ages 6 to &lt;12 yo</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Lanadelumab 300mg q2wks</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> <li>Primary: Safety and pharmacokinetics</li> <li>Secondary: Clinical outcomes, pharmacodynamics</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Primary: Number of investigator-confirmed angioedema attacks during the treatment period of Day 0 through Day 182</li> <li>Key Secondary: Number of participants achieving attack-free status during the treatment period of Day 0 through Day 182</li> </ul>
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2019</li> <li>Estimated primary completion date: FY22</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2020</li> <li>Estimated primary completion date: FY23</li> </ul>

# MARIBAVIR (TAK-620): ORAL VIRAL PROTEIN KINASE INHIBITOR

希少遺伝子疾患および血液疾患

Study	<a href="#">NCT02931539</a>	<a href="#">NCT02927067</a>
Indication	Treatment of Resistant/Refractory Post-Transplant Cytomegalovirus (CMV) Infection	Treatment of CMV infection in Hematopoietic Stem Cell Transplant Recipients
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 351	N = 550
Target Patients	Treatment of CMV infection refractory or resistant to ganciclovir, valganciclovir, cidofovir or foscarnet in solid organ transplant (SOT) and stem cell transplant patients	Treatment of asymptomatic CMV infection in stem cell transplant patients
Arms/Intervention	Arm A: Maribavir Arm B: Investigator-assigned treatment	Arm A: Maribavir Arm B: Valganciclovir
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Primary:</b> Confirmed clearance of plasma CMV DNA (CMV viremia clearance) at the end of Study Week 8</li> <li>• <b>Secondary:</b> Achievement of CMV viremia clearance and resolution or improvement of tissue invasive CMV disease or CMV syndrome for subjects symptomatic at baseline or achievement of clearance of viremia and no symptoms of tissue invasive CMV disease or CMV syndrome for subjects asymptomatic at baseline at the end of Study Week 8, followed by maintenance of this treatment effect for an additional 8 weeks off treatment</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Primary:</b> Confirmed clearance of plasma CMV DNA (CMV viremia clearance) at the end of Study Week 8</li> <li>• <b>Secondary:</b> Maintenance of confirmed CMV viremia clearance achieved at the end of Study Week 8 through Week 16 having received exclusively a study-assigned treatment.</li> </ul>
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: December 2016</li> <li>• Estimated primary completion date: FY20</li> <li>• Papanicolaou GA, et al. Clin Infect Dis. 2019 Apr 8;68(8):1255-1264.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: April 2017</li> <li>• Estimated primary completion date: FY21</li> <li>• Maertens J, et al. N. Engl J Med 2019;381:1136-47.</li> </ul>

# TAK-755: REPLACEMENT OF THE DEFICIENT-ADAMTS13 ENZYME

Study	<a href="#">NCT03393975</a>	<a href="#">NCT03922308</a>	<a href="#">NCT03997760</a>
<b>Indication</b>	Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (cTTP)	Immune Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (iTTP)	Sickle Cell Disease
<b>Phase</b>	Phase III	Phase II	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 68	N = 30	N = 56
<b>Target Patients</b>	Patients diagnosed with severe cTTP in prophylactic and on-demand treatment	Adult patients diagnosed with iTTP	Adult patients with sickle cell disease at baseline health and during acute vaso-occlusive crisis (VOC)
<b>Arms/Intervention</b>	<p>Prophylaxis Treatment Cohort: 6 + 6 months cross over of TAK-755 vs SoC followed by 6 months TAK-755 extension</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Arm 1:</b> TAK-755 + SOC</li> <li>• <b>Arm 2:</b> SOC + TAK-755</li> </ul> <p>(Patients are eligible to enter the prophylaxis study upon completion of acute treatment)</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Arm 1:</b> TAK-755 High dose + SOC</li> <li>• <b>Arm 2:</b> TAK-755 Low dose + SOC</li> <li>• <b>Arm 3:</b> Placebo + SOC</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Part A:</b> TAK-755 administered at baseline health at 3 dose levels and with placebo</li> <li>• <b>Part B:</b> TAK-755 administered during acute VOC at 3 dose levels of 40, 80, and 160 IU/kg.</li> <li>• Placebo will be administered in an equivalent volume of the 3 dose levels of 40, 80, and 160 IU/kg during part A and part B</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Incidence of acute TTP episodes in subjects receiving prophylactic treatment with either TAK-755 or SoC	ADAMTS-13 activity, ADAMTS-13 binding and inhibitory antibodies, Platelet count, and LDH levels	SAEs/AEs, adverse changes in vital signs and laboratory parameters, and incidence of binding and inhibitory antibodies to ADAMTS-13
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2017</li> <li>• Estimated primary completion date: FY22</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2019</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2019</li> </ul>

# TAK-611: RHASA<sup>1</sup> ENZYME REPLACEMENT THERAPY FOR MLD, INTRATHECAL (IT)

Study	<u><a href="#">NCT01887938</a></u>	<u><a href="#">NCT03771898</a></u>
<b>Indication</b>	Treatment of patients with motor symptoms in Metachromatic Leukodystrophy (MLD)	Treatment of patients with motor symptoms in Metachromatic Leukodystrophy (MLD)
<b>Phase</b>	Phase I/II Extension Trial (Of HGT-MLD-070)	Registration Enabling Phase IIb
<b># of Patients</b>	N = 23	N = 42
<b>Target Patients</b>	Children with Metachromatic Leukodystrophy (MLD)	Late Infantile Metachromatic Leukodystrophy (MLD)
<b>Arms/Intervention</b>	<p>Open Label with 4 Cohorts:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Cohort 1 – 10 mg dose level</li> <li>• Cohort 2 – 30 mg dose level</li> <li>• Cohort 3 – 100 mg dose level</li> <li>• Cohort 4 – 100 mg dose level (Process B)</li> </ul>	<p>Open Label with 6 Groups:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Group A - GMFC-MLD level of 1 or 2</li> <li>• Group B - GMFC-MLD level of 3</li> <li>• Group C - GMFC-MLD level of 4</li> <li>• Group D - younger siblings of enrolled subjects, and have the same ASA allelic constitution</li> <li>• Group E - GMFC-MLD level of 1 or 2 ( ≥12 to &lt;18 mons of age)</li> <li>• Group F - GMFC-MLD level of 5 or 6</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>Primary - Safety will be measured by the following endpoints:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Reporting of treatment-emergent adverse events (TEAEs)</li> <li>• Change from baseline in clinical laboratory testing (serum chemistry including liver function tests, hematology, and urinalysis)</li> <li>• Change from baseline in vital signs, physical examinations, and CSF chemistry (including cell counts, glucose, albumin, and protein)</li> <li>• Determination of the presence of anti-HGT-1110 antibodies in CSF and/or serum</li> </ul>	<p>Primary - The primary efficacy endpoint is response in Group A, defined as maintenance of gross motor function at 2 years (Week 106), evaluated as no greater than 2 levels decline from baseline in GMFC-MLD. If suitable controls cannot be matched despite the sponsor's best efforts, change from baseline results of GMFC-MLD at Week 106 may be compared with a prespecified objective threshold to evaluate primary efficacy for this study.</p>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: May 2013</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: May 2019</li> <li>• Estimated primary completion date: FY22</li> </ul>

# TAK-609: CNS REPLACEMENT OF THE DEFICIENT-IDS<sup>1</sup> ENZYME, INTRATHECAL (IT)

Study	<a href="#">NCT01506141</a>	<a href="#">NCT02412787</a>
Indication	Hunter Syndrome with Cognitive Impairment	Hunter Syndrome with Cognitive Impairment
Phase	Phase I/II HGT-HIT-045	Phase II/III HGT-HIT-094
# of Patients	N = 14	N = 56
Target Patients	Pediatric participants that completed HGT-HIT-045 with Hunter syndrome and cognitive Impairment	Pediatric Participants that completed study HGT-HIT-094 to continue receiving Elaprase treatment in conjunction with IdS IT or to continue receiving Elaprase treatment and begin concurrent IT treatment for those that did not receive IdS IT treatment in study HGT-HIT-094.
Arms/Intervention	All Participants will receive Idursulfase-IT once monthly at the dose used in study HGT-HIT-045 via intrathecal drug delivery device (IDDD).	All 56 Participants will receive 10 mg of IdS IT once every 28 days. Participants who are younger than 3 years of age will receive an adjusted dose of 7.5 mg (>8 months to 30 months of age) and 10 mg (>30 months to 3 years of age).
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Extension study of HGT-HIT-045 evaluating long-term safety and clinical outcomes of intrathecal idursulfase in conjunction with intravenous elaprase	An open label extension of study HGT-HIT-094 evaluating long term safety and clinical outcomes of intrathecal idursulfase administered in conjunction with elaprase
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2010, recruitment completed</li> <li>Publication:                             <ul style="list-style-type: none"> <li>Muenzer J, et al. <i>Genet. Med.</i> 2016 Jan; 18(1):73-81.</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2015, recruitment completed</li> </ul>

# MEZAGITAMAB (TAK-079): ANTI-CD38 ANTIBODY

Study	<a href="#">NCT04278924</a>	<a href="#">NCT04159805</a>
Indication	Persistent/Chronic Primary Immune Thrombocytopenia (ITP)	Myasthenia Gravis
Phase	Phase II	Phase II
# of Patients	N = 54	N = 36
Target Patients	Patients ≥18 years of age with persistent/chronic primary ITP	Patients ≥18 years of age with generalized Myasthenia Gravis
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>Part A: 2 dose groups and placebo added to stable background therapy                             <ul style="list-style-type: none"> <li>Arm A1: Matching placebo (n = 12 patients)</li> <li>Arm A2: TAK-079 100 mg (n = 12 patients)</li> <li>Arm A3: TAK-079 300 mg (n = 12 patients)</li> </ul> </li> <li>Part B: Following interim analysis. 1 dose group and placebo (600 mg) added to stable, standard background therapy.                             <ul style="list-style-type: none"> <li>Arm B1: Matching placebo (n = 6 patients)</li> <li>Arm B2: TAK-079 600 mg (n = 12 patients)</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>2 dose groups and placebo added to stable background therapy                             <ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-079 300 mg (n = 12 patients)</li> <li>TAK-079 600 mg (n = 12 patients)</li> <li>Matching placebo (n = 12 patients)</li> </ul> </li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	The primary endpoint is the percentage of patients with TEAEs including Grade 3 or higher events, SAEs, and AEs leading to TAK-079 discontinuation.	The primary endpoint is the percentage of patients with TEAEs including Grade 3 or higher events, SAEs, and AEs leading to TAK-079 discontinuation.
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Estimated study start date: Late FY2020</li> </ul>	Study start date: January 2020

# MECASERMIN RINFABATE (TAK-607): REPLENISHES INSULIN LIKE GROWTH FACTOR-1, IV

希少遺伝子疾患および血液疾患

<b>Study</b>	<b><u>NCT03253263</u></b>
<b>Indication</b>	Disease Complications of Extremely Premature Infants
<b>Phase</b>	Phase IIb
<b># of Patients</b>	N = 477
<b>Target Patients</b>	Extremely premature infants (birth>23 weeks to < 28 weeks of gestational age)
<b>Arms/Intervention</b>	3 Arms 1:1:1 Ratio <ul style="list-style-type: none"><li>• ~159 subjects randomized to continuous IV infusion of SHP607 250 µg/kg/24 hours</li><li>• ~159 subjects randomized to continuous IV infusion of SHP607 400 µg/kg/24 hours</li><li>• ~159 subjects randomized to standard neonatal care</li></ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Time to final weaning off respiratory technology support (RTS) from Day 1 (i.e., randomization) through 12 months corrected age (CA)
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Study start date: May 2019</li></ul>

# OBIZUR (TAK-672): RECOMBINANT ANTIHEMOPHILIC FACTOR, PORCINE SEQUENCE

<b>Study</b>	<b><u>NCT02895945</u></b>
<b>Indication</b>	Congenital Hemophilia A with Inhibitors (CHAWI) patients who are undergoing major or minor elective surgical, dental, or other invasive procedures
<b>Phase</b>	Phase III
<b># of Patients</b>	N = 12
<b>Target Patients</b>	CHAWI patients
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Single arm study with individualized loading and subsequent dosing</li></ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Primary endpoint: Global Hemostatic Efficacy Assessment Score</li><li>• Secondary endpoints: Blood loss, blood transfusions, and bleeding episodes</li></ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Study start date: May 2017</li></ul>



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# TAK-994: OREXIN 2R AGONIST, ORAL

Study	<a href="#">NCT04096560</a>	<a href="#">NCT04551079</a>
<b>Indication</b>	Narcolepsy with or without cataplexy (NT1 or NT2)	Acute sleep phase delay paradigm in healthy male participants
<b>Phase</b>	<b>Phase II</b> <b>SPARKLE-1501</b>	<b>Phase I</b>
<b># of Patients</b>	N = up to 202	N = 18
<b>Target Patients</b>	Patients with Narcolepsy Type 1 (with cataplexy, NT1) or Narcolepsy Type 2 (without cataplexy, NT2)	Healthy male participants
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>Part A:</b> Patients with NT1 treated for 28 days (TAK-994 dose 1 or placebo in 2:1 ratio). Second cohort with dose 2 TBD.</li> <li><b>Part B:</b> Dose ranging study in NT1 for 56 days (TAK-994 dose 1-3 or placebo in 1:1:1:1 ratio)</li> <li><b>Part C:</b> China specific cohort in NT1 for 56 days (TAK-994 or placebo in 2:1 ratio)</li> <li><b>Part D:</b> Patients with NT2 treated for 28 days (TAK-994 or placebo in 2:1 ratio). Second cohort with dose 2 TBD.</li> </ul>	Randomization to 1 of 3 treatment sequences with a washout period of at least 7 days in between each treatment period: <ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-994 Dose A, Placebo, and TAK-994 Dose B</li> <li>TAK-994 Dose B, TAK-994 Dose A, and Placebo</li> <li>Placebo, TAK-994 Dose B, and TAK-994 Dose B</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Maintenance of Wakefulness Test (MWT)</li> <li>Epworth Sleepiness Scale (ESS)</li> <li>Weekly Cataplexy Rate (WCR)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Maintenance of Wakefulness Test (MWT)</li> <li>Safety, PK/PD</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: July 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: September 2020</li> </ul>

# TAK-925: OREXIN 2R AGONIST, IV

Study	<a href="#">NCT03332784</a>	<a href="#">NCT03748979</a>
Indication	Narcolepsy type 1	Narcolepsy type 1 and Narcolepsy type 2
Phase	Phase I	Phase I
# of Patients	N = 58	N = 57
Target Patients	Patients with narcolepsy type 1 and healthy volunteers	Patients with narcolepsy type 1, patients with narcolepsy type 2 and healthy volunteers
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Part 1:</b> Healthy participants and healthy elderly participants</li> <li>• <b>Part 2:</b> Patients with narcolepsy type 1: TAK-925 5 mg, 11.2 mg, 44.8mg or placebo with cross-over</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Part A:</b> Healthy participants</li> <li>• <b>Part B:</b> TAK-925 (Dose Levels 11mg, 44mg ) vs. placebo in NT1 patients</li> <li>• <b>Part C:</b> TAK-925 (Dose Levels 44mg, 112mg ) vs. placebo in NT2 patients</li> <li>• <b>Part A':</b> TAK-925 (Dose Levels 112mg) in healthy participants.</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Sleep Latency in Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Karolinska Sleepiness Scale (KSS)	Sleep Latency in Maintenance of Wakefulness Test (MWT) Epworth Sleepiness Scale (ESS)
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: November 2017</li> <li>• Study primary completion date: September 2018</li> </ul> Publication: <a href="https://www.professionalabstracts.com/ws2019/iPlanner/#/presentation/1832">https://www.professionalabstracts.com/ws2019/iPlanner/#/presentation/1832</a>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: November 2018</li> <li>• Study primary completion date: October 2019</li> </ul> Publication: <a href="https://onlinelibrary.wiley.com/toc/13652869/2020/29/S1">https://onlinelibrary.wiley.com/toc/13652869/2020/29/S1</a>

# TAK-925: OREXIN 2R AGONIST, IV

Study	<a href="#">NCT04091425</a>	<a href="#">NCT04091438</a>
<b>Indication</b>	Excessive Daytime sleepiness in subjects with Obstructive Sleep Apnea	Idiopathic Hypersomnia
<b>Phase</b>	<b>Phase 1</b>	<b>Phase 1</b>
<b># of Patients</b>	N = 25	N = 40
<b>Target Patients</b>	Patients with obstructive sleep apnea who are experiencing excessive daytime sleepiness despite adequate use of CPAP	Patients with Idiopathic Hypersomnia (IH)
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>3 period, 3 treatment crossover: TAK-925 High Dose, Low dose and placebo</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>2 period, 2 treatment crossover: TAK-925 and placebo</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Maintenance of Wakefulness Test (MWT)</li> <li>Karolinska Sleepiness Scale (KSS)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Maintenance of Wakefulness Test (MWT)</li> <li>Karolinska Sleepiness Scale (KSS)</li> <li>Safety, PK/PD</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: November 2019</li> <li>Study primary completion date: April 2020</li> <li>Results in-house awaiting publication at a future conference</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: January 2020</li> </ul>

# SOTICLESTAT (TAK-935): CH24H INHIBITOR, ORAL

<b>Study</b>	<b><u>NCT03650452</u><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Dravet Syndrome (DS) and Lennox–Gastaut syndrome (LGS)
<b>Phase</b>	<b>Phase II ELEKTRA</b>
<b># of Patients</b>	N = 141
<b>Target Patients</b>	Pediatric patients between the ages of 2 and < 18 years of age with the diagnosis of DS or LGS demonstrating ≥3 convulsive or ≥4 drop seizures, respectively, per month during the 3 months immediately prior to screening
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 51 DS subjects (1:1 soticlestat:placebo randomization ratio)</li> <li>• And 90 LGS subjects (1:1 soticlestat:placebo randomization ratio)</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>Primary: Percent change from baseline in seizure frequency (convulsive for DS and drop for LGS)</p> <p>Key secondary endpoints:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Clinician’s Clinical Global Impression of Severity and Change</li> <li>• Caregiver Global Impression of Change (GI-C) responses</li> <li>• Plasma 24S-hydroxycholesterol (24HC) levels</li> <li>• Safety and tolerability endpoints</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: August 2018</li> <li>• Study completion date: July 2020</li> <li>• Press release August 25, 2020: <a href="https://www.takeda.com/newsroom/newsreleases/2020/phase-2-elektra-study-of-soticlestat-tak-935ov935-meets-primary-endpoint-reducing-seizure-frequency-in-children-with-dravet-syndrome-or-lennox-gastaut-syndrome/">https://www.takeda.com/newsroom/newsreleases/2020/phase-2-elektra-study-of-soticlestat-tak-935ov935-meets-primary-endpoint-reducing-seizure-frequency-in-children-with-dravet-syndrome-or-lennox-gastaut-syndrome/</a></li> </ul>

# WVE-120101/120102: MHTT ASO

Study	<a href="#">NCT03225833</a> <sup>1</sup>	<a href="#">NCT03225846</a> <sup>1</sup>
<b>Indication</b>	Huntington's Disease	Huntington's Disease
<b>Phase</b>	Phase I/II PRECISION-HD1	Phase I/II PRECISION-HD2
<b># of Patients</b>	N = 60	N = 60
<b>Target Patients</b>	Adult patients with early manifest Huntington's disease (HD) who carry a targeted single nucleotide polymorphism (SNP) rs362307 (SNP1)	Adult patients with early manifest Huntington's disease (HD) who carry a targeted single nucleotide polymorphism (SNP) rs362331 (SNP2)
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• WVE-120101 (2 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120101 (4 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120101 (8 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120101 (16 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120101 (32 mg) or placebo</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• WVE-120102 (2 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120102 (4 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120102 (8 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120102 (16 mg) or placebo</li> <li>• WVE-120102 (32 mg) or placebo</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>Primary outcome: Safety</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Pharmacokinetics (PK), Pharmacodynamics (PD) of single and multiple doses (Concentration of mutant huntingtin (mHTT) protein in CSF)</li> <li>• Clinical effect: Total Functional Capacity (TFC)</li> </ul> <p>Other outcome measures: UHDRS, short Problems Behavior Assessment (PBA-s), magnetic resonance Imaging</p>	<p>Primary outcome: Safety</p> <p>Secondary:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Pharmacokinetics (PK), Pharmacodynamics (PD) of single and multiple doses (Concentration of mutant huntingtin (mHTT) protein in CSF)</li> <li>• Clinical effect: Total Functional Capacity (TFC)</li> </ul> <p>Other outcome measures: UHDRS, short Problems Behavior Assessment (PBA-s), magnetic resonance Imaging</p>
<b>Status</b>	Study start date: July 2017	Study start date: July 2017

# TAK-341<sup>1</sup>: ALPHA-SYNUCLEIN ANTIBODY, IV

Study	<a href="#">NCT03272165</a>	<a href="#">NCT04449484</a>
<b>Indication</b>	Parkinson's Disease	Parkinson's Disease
<b>Phase</b>	Phase I	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 48	N = 36
<b>Target Patients</b>	Healthy volunteers	Patients with Parkinson's Disease
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>TAK-341 (MEDI1341) IV at a single ascending dose</li> <li>Placebo IV</li> </ul>	<p>Three cohorts of 12 patients treated over 8 weeks with three 60 minute IV infusions</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Dose A of TAK-341/MEDI1341 over 8 weeks, with 4 weeks intervals</li> <li>Dose A of TAK-341/MEDI1341 over 8 weeks, with 4 weeks intervals</li> <li>Matched placebo over 8 weeks, with 4 weeks intervals</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Safety and tolerability</li> <li>Secondary endpoint: PK and PD (alpha-synuclein concentrations in plasma and CSF)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Safety and tolerability</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2017</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: August 2020</li> </ul>



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# ENTYVIO (VEDOLIZUMAB): *GUT-SELECTIVE AANTEGRIN MAB*

Study	<a href="#">NCT03657160</a>	<a href="#">NCT02620046</a>
Indication	Graft-versus-Host Disease (GvHD) prophylaxis IV	Ulcerative colitis (UC) or Crohn’s disease (CD) subcutaneous (SC)
Phase	Phase III	Phase III
# of Patients	N = 558	N = 692
Target Patients	Patients undergoing allogeneic hematopoietic stem cell transplantation (Allo-HSCT) in the prophylaxis of intestinal acute GvHD (aGvHD)	Patients with UC or CD who received vedolizumab SC in a prior vedolizumab SC study – long-term open-label extension
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Arm 1:</b> Vedolizumab 300 mg at Days -1 (baseline), +13, +41, +69, +97, +125, and +153</li> <li>• <b>Arm 2:</b> Placebo at Days -1 (baseline), +13, +41, +69, +97, +125, and +153</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>Group A:</b> Vedolizumab SC 108 mg Q2W - patients from studies VISIBLE 1 (NCT02611830) and VISIBLE 2 (NCT02611817) who completed the Maintenance Period (Week 52) or were not randomized into Maintenance Period and achieved response at Week 14 after having received a third vedolizumab IV infusion at Week 6</li> <li>• <b>Group B:</b> Vedolizumab SC 108 mg QW - patients from studies VISIBLE 1 and VISIBLE 2 who withdrew early from the Maintenance Period due to treatment failure or patients from current study who enrolled on Q2W dosing but experienced treatment failure while on study and were dose escalated to QW dosing.</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Intestinal aGvHD-free survival by Day +180 after Allo-HSCT	Percentage of participants with Study Drug Related Treatment Emergent Adverse Events (AEs) and serious AEs Key secondary endpoints: long term clinical response and remission rates for UC and CD
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: February 2019</li> <li>• Estimated primary completion date: FY22</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: April 2016</li> </ul>

# ENTYVIO (VEDOLIZUMAB): *GUT-SELECTIVE ANTI- $\alpha4\beta7$ INTEGRIN MAB*

<b>Study</b>	<b><u>NCT03196427</u></b>
<b>Indication</b>	Ulcerative colitis or Crohn's disease in pediatric patients IV
<b>Phase</b>	<b>Phase II (Long-term safety study)</b>
<b># of Patients</b>	N = 90
<b>Target Patients</b>	Pediatric patients with ulcerative colitis or Crohn's disease between 2 to 17 years old at the time of randomization for Study NCT03138655.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• <b>Arm 1</b> ( <math>\geq 30</math> kg weight cohort): Vedolizumab 300 mg or 200 mg (Q8W)</li><li>• <b>Arm 2</b> ( <math>&lt; 30</math> kg weight cohort): Vedolizumab 150 mg or 100 mg (Q8W)</li></ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Percentage of participants with Treatment-Emergent Adverse Events (TEAEs)
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Phase 2 start date: July 2018</li><li>• Study completion date: May 2020</li><li>• Pediatric Phase 3 to start 2021</li></ul>

# ALOFISEL/CX601 (DARVADSTROCEL): ALLOGENEIC EXPANDED ADIPOSE-DERIVED STEM CELLS (ASC)

<b>Study</b>	<b><u>NCT03279081</u></b>
<b>Indication</b>	Complex perianal fistula(s) in patients with Crohn's disease
<b>Phase</b>	Phase III ADMIRE-CD II
<b># of Patients</b>	N = 554
<b>Target Patients</b>	Patients with Crohn's disease who have complex perianal fistula(s), previously treated and have shown an inadequate response to Immunosuppressants, anti TNF, ustekinumab
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Arm 1: Cx601, adult allogeneic expanded adipose-derived stem cells (eASC 120 million cells (5 million cells per milliliter)) administered once by intralesional injection</li><li>• Arm 2: Placebo-matching eASCs cells administered once by intralesional administration</li></ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<b>Primary: Combined Remission, defined as:</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• The clinical assessment of closure of all treated external openings at week 24, and</li><li>• Absence of collections &gt;2 cm (in at least 2 dimensions) confirmed by blinded central MRI assessment at Week 24.</li></ul> <b>Key Secondary:</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Clinical Remission at weeks 24 and 52</li><li>• Time to Clinical Remission at weeks 24 and 52</li></ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Study start date: September 2017</li><li>• Estimated primary completion date: FY22</li></ul>

# VONOPRAZAN: *POTASSIUM-COMPETITIVE ACID BLOCKER, ORAL*

<b>Study</b>	<b><u>NCT04198363</u></b>
<b>Indication</b>	Acid related disease (adjunct to Helicobacter pylori eradication)
<b>Phase</b>	<b>Phase III China</b>
<b># of Patients</b>	N = 510
<b>Target Patients</b>	Helicobacter pylori (HP)-positive participants who require HP eradication
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Experimental: Vonoprazan 20 mg in combination with bismuth containing quadruple therapy</li> <li>• Active Comparator: Esomeprazole 20 mg in combination with bismuth containing quadruple therapy</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Percentage of Helicobacter pylori positive (HP+) participants with successful HP eradication at week 4 post-treatment
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: April 2020</li> <li>• Estimated primary completion date: FY21</li> </ul>

# TAK-721: *GLUCOCORTICOSTEROID, ORAL*

<b>Study</b>	<b><u>NCT03245840</u></b>
<b>Indication</b>	Eosinophilic Esophagitis (EoE)
<b>Phase</b>	<b>Phase III</b>
<b># of Patients</b>	N = 133
<b>Target Patients</b>	Subjects with EoE who have completed participation in both the SHP621-301 and SHP621-302 studies – extension study
<b>Arms/Intervention</b>	Open Label Study: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Budesonide oral suspension (BOS) (0.2 milligrams/mL) 2mg twice daily</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	To evaluate the long term safety and tolerability of budesonide oral suspension <ul style="list-style-type: none"> <li>• # of participants with treatment-emergent adverse events (TEAEs)</li> <li>• # of participants with clinically relevant changes in physical examinations, vital signs and clinical laboratory assessments</li> <li>• Change from baseline in bone mineral density (BMD) for adolescents assessed by dual-energy x-ray absorptiometry (DXA) scan</li> <li>• Change from baseline in adrenocorticotrophic hormone (ACTH) stimulation level</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2017</li> </ul>

# TAK-951: PEPTIDE AGONIST, SC

Study	<a href="#">NCT04486950</a>	<a href="#">NCT04557189</a>
Indication	Nausea & Vomiting	Nausea & Vomiting
Phase	Phase I	Phase IIa
# of Patients	N = 40	N = 100
Target Patients	Healthy participants	Surgical patients under general anesthesia with 3 or more Apfel risk factors
Arms/Intervention	<ul style="list-style-type: none"> <li>Cohort 1: TAK-951 20 mcg or matching placebo infusion (intravenous (IV)) over 60 minutes</li> <li>Cohort 2: TAK-951 (dose TBD) or matching placebo infusion (IV) over 60 minutes</li> <li>Cohort 1: TAK-951 (dose TBD) or matching placebo infusion (IV) &lt; 60 minutes</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>Group A:</b> Ondansetron placebo-matching intravenous (IV) injection, once immediately before induction of anesthesia and prophylaxis followed by TAK-951 4 mg subcutaneous (SC) injection once 30 to 45 mins before the end of surgery;</li> <li><b>Group B:</b> Ondansetron IV 4 mg once immediately before induction of anesthesia followed by TAK-951 placebo-matching injection SC administered 30 to 45 minutes before the end of surgery</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	Safety and tolerability of IV administered TAK-951 in healthy participants	<p>Complete response in the immediate postoperative period (time frame: 6 hours post surgery)</p> <p>Percentage of participants with complete response, defined as no emesis (vomiting or retching) and no need for rescue therapy (indicated if vomiting/retching and/or nausea score ≥4 or upon participant's request), will be reported.</p> <p>The severity of nausea will be scored using a self-reported, 11-point numerical Verbal Rating Scale (VRS), where 0 represents "no nausea" and 10 represents the "worst nausea possible." Significant nausea is defined as a VRS score ≥4</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: July 2020</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: October 2020</li> </ul>

# TAK-906: DOPAMINE D2/D3 RECEPTOR ANTAGONIST, ORAL

<b>Study</b>	<b><u>NCT03544229</u></b>
<b>Indication</b>	Gastroparesis
<b>Phase</b>	Phase II
<b># of Patients</b>	N = 205
<b>Target Patients</b>	Patients who have symptomatic idiopathic or diabetic gastroparesis.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• TAK 906M 5 mg capsule BID: approximately 25 subjects prior to discontinuation of randomization into this dose arm</li> <li>• TAK-906M 25 mg capsule BID: n = 60</li> <li>• TAK-906M 50 mg capsule BID: n = 60</li> <li>• Placebo capsule BID: n = 60</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	To assess the efficacy of treatment with 2 dose levels of TAK-906 in adult subjects with gastroparesis compared with placebo during 12 weeks of treatment
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2018</li> </ul>

# TAK-954: 5-HT<sub>4</sub>-HYDROXYTRYPTAMINE RECEPTOR AGONIST, IV

<b>Study</b>	<b><u>NCT03827655</u></b>
<b>Indication</b>	Post-Operative Gastrointestinal Dysfunction (POGD)
<b>Phase</b>	Phase II
<b># of Patients</b>	N = 180
<b>Target Patients</b>	Participant is scheduled to undergo a laparoscopic-assisted or open partial small- or large-bowel resection.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Regimen 1: Placebo (NS 100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function (ie, resolution of POGD) or for up to 10 days.</li> <li>• Regimen 2: TAK-954 (0.1 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days.</li> <li>• Regimen 3: TAK-954 (0.5 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days.</li> <li>• Regimen 4: TAK-954 (0.1 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily placebo infusions post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days.</li> <li>• Regimen 5: TAK-954 (0.5 mg/100 mL infusion over 60 minutes) pre-operation and daily placebo infusions post-operation until return of upper and lower GI function or for up to 10 days.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	To assess the efficacy and safety of intravenous (IV) TAK-954 for accelerating the recovery of GI function post-surgery in patients undergoing open or laparoscopic-assisted partial small- or large-bowel resection.
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: March 2018</li> </ul>

# SIBOFIMLOC (TAK-018): *FIMH* ANTAGONIST, ORAL

<b>Study</b>	<b><a href="#">NCT03943446</a></b>
<b>Indication</b>	Prevention of the Recurrence of Postoperative Crohn's Disease (CD)
<b>Phase</b>	Phase II
<b># of Patients</b>	N = 96
<b>Target Patients</b>	Documented diagnosis of CD confirmed by endoscopic biopsy before resection or by tissue obtained at resection.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Cohort 1: TAK-018 0.30 g Low Dose BID for up to 26 weeks</li> <li>• Cohort 2: TAK-018 1.5 g High Dose BID for up to 26 weeks</li> <li>• Placebo</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	% of participants with endoscopic recurrence of CD as assessed by Rutgeerts Grading Scale at Week 26
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: August 2020</li> </ul>



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# HYQVIA (TAK-771): IVIG WITH RECOMBINANT HUMAN HYALURONIDASE, SC

Study	<a href="#">NCT02549170</a>	<a href="#">NCT02955355</a>
<b>Indication</b>	Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy (CIDP)	Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy (CIDP)
<b>Phase</b>	Phase III	Phase III
<b># of Patients</b>	N = 174	N = 120
<b>Target Patients</b>	Adult subjects with a confirmed diagnosis of CIDP and who have remained on a stable dosing regimen of IV immunoglobulin G (IGIV) therapy for at least 12 weeks prior to screening.	Adult subjects who have completed Epoch 1 of Study NCT02549170 without CIDP worsening.
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Epoch 1: SC Treatment Period – Double blind assignment of HYQVIA/HyQvia or 0.25% albumin placebo solution with rHuPH20 6 months or until relapse.</li> <li>Epoch 2: IV Treatment Period - Open-label phase providing IGIV for subjects who meet relapse criteria during Epoch 1.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Subjects remain on same dosing regimen they were administered in Epoch 1 of study 161403 (1 to 2 g/kg body weight every 4 weeks). The first infusion will be at the subject’s full dose; there will be no ramp-up of dose.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	To evaluate the efficacy of HYQVIA/HyQvia as a maintenance therapy for CIDP to prevent relapse of neuromuscular disability and impairment. Safety and tolerability.	To evaluate the long-term safety, tolerability, and immunogenicity of HYQVIA/HyQvia.
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: April 2016</li> <li>Estimated primary completion date: FY21/22</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: December 2016</li> </ul>

# HYQVIA (TAK-771): IVIG WITH RECOMBINANT HUMAN HYALURONIDASE, SC

Study	<a href="#">NCT03277313</a>	<a href="#">NCT03116347</a>
Indication	Primary Immunodeficiency Diseases (PIDD)	Primary Immunodeficiency Diseases (PIDD)
Phase	Phase III	Phase IV
# of Patients	N = 44	N = 42
Target Patients	Pediatric subjects with primary immunodeficiency diseases in the US	Pediatric subjects with primary immunodeficiency diseases in the EU
Arms/Intervention	<p>Single-Group:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Epoch 1: HyQvia SC dose and ramp up for all patients; up to 6 weeks duration; patients were previously treated with IVIG or other SC immunoglobulin</li> <li>Epoch 2: HYQVIA treatment (final dosing); 1-3 years <ul style="list-style-type: none"> <li>For IV-pre-treated subjects: every three or four weeks, depending on the subject's previous IV dosing schedule.</li> <li>For SC-pre-treated subjects: every three or four weeks, at the discretion of investigator and subject.</li> </ul> </li> <li>Epoch 3: Safety Follow-Up: up to 1 year, if needed</li> </ul>	<p>Single-Group:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Epoch 1: HyQvia SC dose and ramp up for patients previously not treated with HyQvia</li> <li>Epoch 2: HyQvia dose once every three or four weeks <ul style="list-style-type: none"> <li>For IV-pre-treated subjects: every three or four weeks, depending on the subject's previous IV dosing schedule.</li> <li>For SC-pre-treated subjects: every three or four weeks, at the discretion of investigator and subject</li> <li>For HyQvia pre-treated subjects: No change in frequency of administration</li> </ul> </li> <li>Epoch 3: Safety Follow-Up: up to 1 year, if needed</li> </ul>
Primary endpoint and key secondary endpoint(s)	<p>Primary: Efficacy - rate of acute serious bacterial infections per participant per year.</p> <p>Secondary: Safety, tolerability, immunogenicity, efficacy, PK, health-related Quality of Life.</p>	<p>Primary: Safety</p> <p>Secondary: Tolerability, immunogenicity, efficacy, health-related Quality of Life.</p>
Status	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: September 2017</li> <li>Estimated primary completion date: FY23</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Study start date: June 2017</li> <li>Estimated primary completion date: FY23</li> </ul>

# GLASSIA (TAK-670): HUMAN ALPHA1-PROTEINASE INHIBITOR, IV

<b>Study</b>	<b><u>NCT02525861</u></b>
<b>Indication</b>	Chronic augmentation and maintenance therapy in adults with clinically evident emphysema due to severe congenital deficiency of Alpha1-Proteinase Inhibitor (A1PI)
<b>Phase</b>	Phase III/IV
<b># of Patients</b>	N = 36
<b>Target Patients</b>	A1PI deficient subjects
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm 1: GLASSIA lot with particle loads representing the high end within the normal range observed in GLASSIA lots manufactured</li> <li>• Arm 2: GLASSIA lot with particle loads representing the low end within the normal range observed in GLASSIA lots manufactured</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. To evaluate the effectiveness of the use of 5-micron in-line filter on the safety and potential immunogenicity of GLASSIA.</li> <li>2. To determine the effects of weekly IV augmentation therapy with GLASSIA at a dosage of 60 mg/kg BW on antigenic and functional A1PI levels in epithelial lining fluid (ELF) in subjects with congenital A1PI deficiency.</li> <li>3. To collect additional safety information for GLASSIA.</li> </ol>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: April 2016</li> <li>• Primary completion date: July 2020</li> </ul>

# COVIG-19: ANTI-COVID-19 HYPERIMMUNE INTRAVENOUS GLOBULIN

<b>Study</b>	<b><u>NCT04546581</u><sup>1</sup></b>
<b>Indication</b>	Treatment of COVID-19 in hospitalized patients with moderate disease
<b>Phase</b>	Phase III
<b># of Patients</b>	N = 500
<b>Target Patients</b>	Adult hospitalized COVID-19 patients with moderate disease with duration of symptoms ≤ 12 days
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm A: Hyperimmune globulin to SARS-CoV-2 (hIVIG)<sup>2</sup> single dose of 400 mg/kg body weight, to a maximum dose of 40 g or 400 mL (i.e. capped at a body weight of 100kg) + remdesivir</li> <li>• Arm B: Placebo (normal saline) + remdesivir</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<p>Primary Endpoint: Clinical Status at Day 7 According to a 7-point Ordinal Outcome Scale</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>7. Death</li> <li>6. End-organ failure</li> <li>5. Life-threatening end-organ dysfunction;</li> <li>4. Serious end-organ dysfunction;</li> <li>3. Moderate end-organ dysfunction;</li> <li>2. Limiting symptoms due to COVID-19;</li> <li>1. No limiting symptoms due to COVID-19</li> </ol> <p>(Outcome is reported as the percent of participants in each of 7 categories)</p> <p>Key Secondary Endpoints: mortality, adverse events, and days of hospitalization</p>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: October 2020</li> <li>• Estimated primary completion date: FY20</li> </ul>

1. Sponsor: The National Institute of Allergy and Infectious Diseases (NIAID), part of the National Institutes of Health (NIH)

2. Arm A represents hIVIG produced by four manufacturers (Takeda, CSL, Grifols, and Emergent). The hIVIG products will be pooled for the planned efficacy and safety analyses.



オンコロジー



希少遺伝子疾患および血液疾患



ニューロサイエンス



消化器系疾患



血漿分画製剤



ワクチン

# TAK-003: LIVE ATTENUATED TETRAVALENT VACCINE FOR PREVENTION OF DENGUE DISEASE

<b>Study</b>	<b><u>NCT02747927</u></b>
<b>Indication</b>	The prevention of dengue disease caused by any dengue virus serotype in individuals 4 years to 60 years of age
<b>Phase</b>	<b>Phase III Tetavalent Immunization against Dengue Efficacy Study (TIDES)</b>
<b># of Patients</b>	N = 20,100
<b>Target Patients</b>	Healthy children aged 4 to 16-year-old in dengue-endemic countries in Latin America and Asia
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Randomized 2:1 to receive either TAK-003 or placebo on Day 1 and Day 90</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Efficacy: Onset of protection 30 days post 2<sup>nd</sup> dose in all (seronegative and seropositive)             <ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary endpoint: ≥70% efficacy against all symptomatic dengue fever caused by any strain</li> <li>• Secondary endpoints:                 <ul style="list-style-type: none"> <li>– ≥70% efficacy individual strains</li> <li>– ≥60% efficacy in seronegatives</li> </ul> </li> </ul> </li> <li>• Safety:             <ul style="list-style-type: none"> <li>• Comparable to other live attenuated viral vaccines (e.g. MMR, YF, Varicella)</li> <li>• No disease enhancement in partially protected individuals</li> </ul> </li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: September 2016</li> <li>• Primary completion date: July 2018</li> <li>• Estimated completion date: FY24/25 (following booster evaluation)</li> <li>• 24 month data presented November 2020 at American Society of Tropical Medicine and Hygiene Annual Meeting</li> </ul> Publication: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Biswal S, et al. <i>N Engl J Med.</i> 2019; 381:2009-2019.</li> <li>• Biswal S, et al. <i>Lancet.</i> 2020; 395(10234):1423-1433.</li> </ul>

# TAK-214: NOROVIRUS GI.1/GII.4 BIVALENT VIRUS-LIKE PARTICLE VACCINE

Study	<a href="#">NCT02669121</a>	<a href="#">NCT03039790</a>
<b>Indication</b>	For active immunization for the prevention of acute gastroenteritis caused by norovirus (NoV)	For active immunization for the prevention of acute gastroenteritis caused by norovirus (NoV)
<b>Phase</b>	Phase II	Phase II
<b># of Patients</b>	N = 4176	up to N = 575
<b>Target Patients</b>	Healthy adults (18 to 49 years of age)	Healthy adults >18 years who received at least one dose of NoV GI.1/GII.4 Bivalent Virus-Like Particle Vaccine in previous studies NOR-107, NOR-210 and NOR-204
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Arm 1: NoV 15µg GI.1/50µg GII.4 bivalent virus-like particle (VLP) vaccine, 0.5 mL intramuscularly (IM), once, on Day 1</li> <li>• Arm 2: NoV vaccine placebo-matching solution (0.9% sodium chloride), 0.5 mL intramuscularly (IM), once, on Day 1</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• No NoV vaccine injection administered.</li> <li>• Long-Term Immunogenicity Follow-up Trial of Adult and Elderly Subjects (followed up to 5y post-primary vaccination).</li> <li>• Vaccine formulation according to parent trials.</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary endpoint: Percentage of Participants with Moderate or Severe Acute Gastroenteritis (AGE) Occurring &gt;7 Days After Dosing Due to GI.1 or GII.4 NoV Strains (excluding Co-infection due to Salmonella, Shigella, or Campylobacter)</li> <li>• Key secondary: Percentage of Participants with Moderate or Severe AGE Occurring &gt;7 Days After Dosing Due to Any NoV Strains (including/excluding Co-infection) and Due to GI.1 or GII.4 NoV Strains (including Co-infection)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Primary endpoint: Geometric Mean Blocking Titers 50 percent (%) (GMBT50) of Anti-norovirus GI.1 VLP / GII.4 VLP Antibodies as measured by the histo-blood group antigen (HBGA) blocking assay.</li> <li>• Secondary endpoint: Geometric Mean Titers (GMT) of Anti-norovirus GI.1 VLP / GII.4 VLP Antibodies as measured by total immunoglobulin (pan-Ig) enzyme-linked immunoassay (ELISA).</li> </ul>
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: February 2016</li> <li>• Study primary completion date: June 2018</li> </ul> Publication: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Sherwood J, et al. <i>Vaccine</i> 2020; 38(41):6442-6449.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: February 2017</li> </ul>

# TAK-426: PURIFIED INACTIVATED ZIKA VIRUS VACCINE PIZV

<b>Study</b>	<b><u>NCT03343626</u></b>
<b>Indication</b>	For active immunization for prevention of disease caused by Zika virus (ZIKV)
<b>Phase</b>	Phase I
<b># of Patients</b>	N = 271
<b>Target Patients</b>	Healthy Adult Participants aged 18-49-years of age
<b>Arms/Intervention</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Placebo: TAK-426 placebo-matching injection, intramuscular, once on Days 1 and 29</li> <li>• Low Dose: PIZV 2 microgram (mcg) (PIZV 0.5 milliliter (mL), 2 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29)</li> <li>• Medium Dose: PIZV 5 mcg (PIZV 0.5 mL, 5 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29)</li> <li>• High Dose: PIZV 10 mcg (PIZV 0.5 mL, 10 mcg antigen, injection, intramuscular, once on Days 1 and 29)</li> </ul>
<b>Primary endpoint and key secondary endpoint(s)</b>	Safety, immunogenicity and dose ranging study
<b>Status</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Study start date: November 2017</li> <li>• Presentation at ASTHM 2019 (Htay Htay Han #215, #1948) <ul style="list-style-type: none"> <li>• <a href="https://www.astmh.org/ASTMH/media/2019-Annual-Meeting/ASTMH-2019-Abstract-Book.pdf">https://www.astmh.org/ASTMH/media/2019-Annual-Meeting/ASTMH-2019-Abstract-Book.pdf</a></li> </ul> </li> </ul>

Better Health, Brighter Future

付録  
調整表・略語集



# 「Core」と「実質的な成長」の定義



当社は、事業の計画策定および業績評価において、「実質的な成長」(Underlying Growth)の概念を採用しております。

「実質的な成長」は、当年度と前年度(四半期もしくは年間)の業績を共通の基準で比較するものであり、マネジメントによる業績評価に使用されています。これら共通の基準で比較される業績は、年間計画レートをを用いた為替レートを一定として、事業等の売却影響およびその他の非定常的もしくは特別な事象に基づく影響、本業に起因しない(ノン・コア)事象による影響を控除し算定されます。当社は、この「実質的な成長」が、事業活動のパフォーマンスを表す共通の基準を提供するため、投資家に有用であると考えています。なお、本指標は、国際会計基準(IFRS)に準拠したものではありません。

当社は、「Underlying Revenue Growth」(実質的な売上収益の成長)、「Underlying Core Operating Profit Growth」(実質的なCore営業利益の成長)および「Underlying Core EPS Growth」(実質的なCore EPSの成長)を重要な財務指標としています。

**実質的な売上収益**は、為替レートを一定として、財務ベースの売上収益に、報告期間における非定常的な事象に基づく影響および事業等の売却影響を調整して計算します。

**実質的なCore営業利益**は、為替レートを一定として、Core営業利益(以下に定義)に、報告期間における事業等の売却影響を調整して計算します。

Core営業利益は、純利益から、法人所得税費用、持分法にかかる投資損益、金融損益、その他の営業収益およびその他の営業費用、製品に係る無形資産償却費及び減損損失を控除して算出します。その他、企業買収に係る会計処理の影響や買収関連費用など、本業に起因しない(ノン・コア)事象による影響を調整します。

**実質的なCore EPS**の算定にあたっては、為替レートを一定として、純利益から、事業等の売却影響、およびCore営業利益の算出において控除された項目と営業利益以下の各科目のうち、重要性のある、非定常的もしくは特別な事象に基づく影響、本業に起因しない(ノン・コア)事象による影響を調整します。これらには、条件付対価に係る公正価値変動(時間的価値の変動を含む)影響などが含まれます。さらに、これらの調整項目に係る税金影響を控除した後、比較年度末の自己株式控除後の発行済株式総数で除して算定します。

# 2014年度 財務ベースから実質ベースへの調整



億円	2013年度	2014年度	成長率
売上収益	16,917	17,788	+5.1%
為替影響	60	(400)	
製品売却	(221)	(160)	
実質的な売上	16,757	17,219	実質的な成長 +2.8%
営業利益	1,393	△1,293	—
アクトスに関する一時的要因		2,741	
無形資産の償却	1,197	1,238	
無形資産の減損	231	635	
遊休不動産売却	(67)	(328)	
事業構造再編費用	217	312	
条件付対価	56	(513)	
訴訟費用等	116	92	
Core Earnings	3,142	2,883	△8.2%
為替影響	30	138	
製品売却、その他	(161)	(73)	
実質的なCore Earnings	3,011	2,949	実質的な成長 △2.1%

# 2019年度財務ベースからCore/Underlying Coreへの調整表

(億円)	財務ベース	財務ベースからCoreへの調整							Core	Coreから実質ベースへの調整		Underlying Core (実質ベース)
		無形資産に係る償却費および減損損失	その他の営業収益/費用	シャイアー社買収関連費用	シャイアー社に係る企業結合会計影響	スイス税制改革	テバ合併会社に係る会計処理影響	その他		為替影響	事業等の売却影響	
売上収益	32,912								32,912	1,024	△305	
売上原価	△10,898				1,995				△8,903	△279	50	
売上総利益	22,014				1,995				24,009	744	△255	
販売費及び一般管理費	△9,647			55	24				△9,568	△290		
研究開発費	△4,924			104	1				△4,819	△89		
製品に係る無形資産償却費	△4,121	870			3,251				—			
製品に係る無形資産減損損失	△433	433							—			
その他の営業収益	602		△460				△142		—			
その他の営業費用	△2,487		1,133	1,354					—			
営業利益	1,004	1,303	673	1,512	5,271		△142		9,622	365	△255	
対売上収益比率	3.1%								29.2%			<b>28.9%</b>
金融損益	△1,372			71	144			△201	△1,357	53		
持分法損益	△240						322		82	△0		
税引前当期利益	△608	1,303	673	1,583	5,416		180	△201	8,347	418	△255	
法人所得税費用	1,050	△317	△108	△292	△982	△946	△55	△675	△2,324	△100	59	
非支配持分	△0								△0			
当期利益	442	987	565	1,291	4,434	△946	125	△876	6,022	318	△196	
EPS (円)	28								387	21	△13	<b>395</b>
株式数 (百万)	1,557								1,557			1,555

# 略語の用語集



地域に関する略語: CN: 中国; EU: 欧州; JP: 日本; US: 米国

<b>AD</b>	Alzheimer's disease (アルツハイマー病)	<b>cTTP</b>	congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (先天性の血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>iTTP</b>	immune thrombotic thrombocytopenic purpura (免疫性血栓性血小板減少性紫斑病)	<b>PK</b>	pharmacokinetics (薬物動態)
<b>ADC</b>	antibody drug conjugate (抗体薬物複合体)	<b>DAAO</b>	D-amino acid oxidase (D-アミノ酸酸化酵素)	<b>IV</b>	intravenous (静脈投与)	<b>POC</b>	proof of concept (概念実証)
<b>ADHD</b>	attention deficit hyperactivity disorder (注意欠陥多動性障害)	<b>DEE</b>	developmental and epileptic encephalopathies (けいれん性てんかん重積状態)	<b>iPSC</b>	induced pluripotent stem cells (人工多能性幹細胞)	<b>POGD</b>	post-operative gastrointestinal dysfunction (術後消化器機能障害)
<b>AHA</b>	acquired hemophilia A (後天性血友病A)	<b>DLBCL</b>	diffuse large B cell lymphoma (びまん性大細胞型B細胞リンパ腫)	<b>L-ASA</b>	low dose aspirin (低用量アスピリン)	<b>POI</b>	post-operative ileus (術後イレウス)
<b>ALK</b>	anaplastic lymphoma kinase (未分化リンパ腫キナーゼ)	<b>DU</b>	duodenal ulcer (十二指腸潰瘍)	<b>LBD</b>	Lewy Body Dementia (レビー小体病)	<b>PTCL</b>	peripheral T-cell lymphoma (末梢性T細胞リンパ腫)
<b>ALCL</b>	anaplastic large-cell lymphoma (未分化大細胞型リンパ腫)	<b>Dx</b>	diagnosis (診断)	<b>LB AML</b>	Low-Blast Acute Myeloid Leukemia (低ブラスト急性骨髄性白血病)	<b>PTH</b>	parathyroid hormone (副甲状腺ホルモン)
<b>AML</b>	acute myeloid leukemia (急性骨髄性白血病)	<b>EDS</b>	excessive daytime sleepiness (日中の過度の眠気)	<b>LSD1</b>	Lysine specific demethylase 1 (リジン特異的脱メチル化酵素1)	<b>R/R</b>	relapsed/refractory (再発/難治)
<b>ASCT</b>	autologous stem cell transplant (自家幹細胞移植)	<b>EE H</b>	erosive esophagitis healing (びらん性食道炎の治療)	<b>LCM</b>	lifecycle management (ライフ・サイクル・マネジメント)	<b>RCC</b>	renal cell cancer (腎細胞がん)
<b>ARD</b>	acid-related diseases (酸関連疾患)	<b>EE M</b>	erosive esophagitis maintenance (びらん性食道炎の再発予防)	<b>mAb</b>	monoclonal antibodies (モノクローナル抗体)	<b>RTK</b>	receptor tyrosine kinase (受容体チロシンキナーゼ)
<b>BLA</b>	biologics license application (生物製剤承認申請)	<b>EFI</b>	enteral feeding intolerance (経腸栄養不耐性)	<b>MAOB</b>	monoamine oxidase B (モノアミン酸化酵素B)	<b>SALCL</b>	systemic anaplastic large cell lymphoma (全身性未分化大細胞リンパ腫)
<b>BBB</b>	blood brain barrier (血液脳関門)	<b>EGFR</b>	epidermal growth factor receptor (上皮増殖因子受容体)	<b>MG</b>	myasthenia gravis (重症筋無力症)	<b>SBS</b>	short bowel syndrome (短腸症候群)
<b>BMA</b>	bradykinin mediated angioedema (ブラジキニン介在性血管性浮腫)	<b>EOE</b>	eosinophilic esophagitis (好酸球性食道炎)	<b>MLD</b>	metachromatic leukodystrophy (異染性白質ジストロフィー)	<b>SC</b>	subcutaneous formulation (皮下投与製剤)
<b>BTK</b>	Bruton's tyrosine kinase (ブルトン型チロシンキナーゼ)	<b>ESCC</b>	esophageal squamous-cell carcinoma (食道扁平上皮がん)	<b>MM</b>	multiple myeloma (多発性骨髄腫)	<b>SCD</b>	sickle cell disease (鎌状赤血球症)
<b>BOS</b>	budesonide oral solution (ブデソニド経口懸濁液)	<b>FL</b>	front line (フロントライン適応)	<b>NAE</b>	NEDD8 activating enzyme (NEDD8活性化酵素)	<b>SCT</b>	stem cell transplant (幹細胞移植)
<b>CAR-T</b>	Chimeric antigen receptor-T (次世代型キメラ抗原受容体発現T細胞)	<b>FSI</b>	first subject in (最初の患者登録)	<b>ND</b>	newly diagnosed (新たに診断された)	<b>SCZ</b>	schizophrenia (統合失調症)
<b>CD</b>	Crohn's disease (クローン病)	<b>GCC</b>	guanylyl cyclase C (グアニル酸シクラーゼC)	<b>NDA</b>	new drug application (新薬承認申請)	<b>SID</b>	secondary immunodeficiency (続発性免疫不全)
<b>CHAWI</b>	congenital hemophilia A with inhibitors (インヒビター保有先天性血友病A)	<b>GERD</b>	gastroesophageal reflux disease (胃食道逆流症)	<b>Neg</b>	negative (陰性)	<b>SLE</b>	systemic lupus erythematosus (全身性エリテマトーデス)
<b>CIAS</b>	cognitive impairment associated with schizophrenia (統合失調症に伴う認知障害)	<b>GI</b>	gastrointestinal (胃腸)	<b>NERD</b>	non-erosive reflux disease (非びらん性胃食道逆流症)	<b>sq</b>	squamous (扁平上皮)
<b>CIDP</b>	chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (慢性炎症性脱髄性多発根神経炎)	<b>GnRH</b>	gonadotropin-releasing hormone (ゴナドトロピン放出ホルモン)	<b>NHL</b>	non-Hodgkin's lymphoma (非ホジキンリンパ腫)	<b>STING</b>	stimulator of interferon genes (インターフェロン遺伝子刺激因子)
<b>CLL</b>	chronic lymphocytic leukemia (慢性リンパ性白血病)	<b>GU</b>	gastric ulcer (胃潰瘍)	<b>NK</b>	natural killer (ナチュラルキラー)	<b>SUMO</b>	small ubiquitin-related modifier (低分子ユビキチン様修飾因子)
<b>CML</b>	chronic myeloid leukemia (慢性骨髄性白血病)	<b>GvHD</b>	graft versus host disease (移植片対宿主病)	<b>NME</b>	new molecular entity (新規候補物質)	<b>TESD</b>	treatment emergent sexual dysfunction (治療に起因する性機能障害)
<b>CMML</b>	chronic myelomonocytic leukemia (慢性骨髄単球性白血病)	<b>HAE</b>	hereditary angioedema (遺伝性血管浮腫)	<b>NSCLC</b>	non-small cell lung cancer (非小細胞肺がん)	<b>TKI</b>	tyrosine kinase inhibitor (チロシンキナーゼ阻害剤)
<b>CMV</b>	cytomegalovirus (サイトメガロウイルス)	<b>H2H</b>	head to head (直接比較)	<b>NSCT</b>	non stem cell transplant (非幹細胞移植)	<b>TRD</b>	treatment resistant depression (治療抵抗性うつ病)
<b>CSF</b>	cerebrospinal fluid (脳脊髄液)	<b>HCC</b>	hepatocellular carcinoma (肝細胞がん)	<b>NS</b>	negative symptoms (陰性症状)	<b>UC</b>	ulcerative colitis (潰瘍性大腸炎)
<b>CNS</b>	central nervous system (中枢神経系)	<b>HemA</b>	hemophilia A (血友病A)	<b>NT1</b>	Narcolepsy Type 1 (ナルコレプシータイプ1)	<b>vWD</b>	von Willebrand disease (フォン・ヴィレブランド病)
<b>CPF</b>	Complex perianal fistulas (肛門周囲複雑瘻孔)	<b>HER2</b>	human epidermal growth factor receptor 2 (ヒト上皮成長因子受容体2)	<b>ORR</b>	overall response rate (全奏効率)		
<b>CRL</b>	complete response letter (審査完了報告通知)	<b>HL</b>	Hodgkin's lymphoma (ホジキンリンパ腫)	<b>PARP</b>	poly (ADP-ribose) polymerase (ポリADPリボースポリメラーゼ)		
<b>CRPS</b>	complex regional pain syndrome (複合性局所疼痛症候群)	<b>HR MDS</b>	high risk myelodysplastic syndromes (高リスク骨髄異形成症候群)	<b>PBS</b>	phosphate buffered saline (リン酸緩衝生理食塩水)		
<b>CTCL</b>	cutaneous T Cell Lymphoma (皮膚T細胞性リンパ腫)	<b>IBD</b>	inflammatory bowel disease (炎症性腸疾患)	<b>PCAB</b>	potassium competitive acid blocker (カリウムイオン競合型アシッドブロッカー)		
		<b>IND</b>	investigational new drug (治験薬)	<b>Ph+ ALL</b>	Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia (フィラデルフィア染色体陽性ヒト急性リンパ性白血病)		
		<b>iNHL</b>	Indolent non-Hodgkin's Lymphoma (低悪性度非ホジキンリンパ腫)	<b>PID</b>	primary immunodeficiency (原発性免疫不全)		
		<b>I/O</b>	immuno-oncology (がん免疫治療)				

