



塩野義製薬株式会社

R&D Day 2024 フォローアップミーティング

2024年6月12日

京川：それでは本日は皆様、お忙しい中お集まりいただきまして、ありがとうございます。R&D Day のフォローアップミーティングを開催させていただきます。

本日の登壇者をご紹介します。代表取締役会長兼社長 CEO の手代木功です。

手代木：手代木です。よろしくお願いします。

京川：もう 1 人は、上席執行役員、R&D 管掌のジョン・ケラーです。

ケラー：ケラーでございます。よろしくお願いします。

京川：早速ですが、会場からはいかがでしょう。では、村岡さん。

村岡：モルガン・スタンレー、村岡です。よろしくお願いします。

今後の面白そうな薬剤となると、僕は RS ウイルスの S-337395 は面白いのかなと思っているんですが。今まであまり勉強していなかったんで、ここ数日間もう一回勉強し直して。競合環境という意味で言うと、ちょうど Enanta 社も同じメカニズムのが、ちょうど彼らもチャレンジ試験の結果がサードクォーターだから、7-9 月に出るって言っているんですが。

御社のクリニカルな情報が少な過ぎ、まだ現在少ないのが分かって、百も承知で、どういうふうな競合状況、Enanta 社に限らず、RSV は今後見ていて、その中での S-337395 のポジショニングをどう見ているか教えてください。

ケラー：たしかに、Enanta 社の化合物が最もメカニズムの近い競合品となっております。そして、ご理解の通り、私たちもチャレンジ試験を実施して臨床的なデータの収集を進めております。私たちが自信を持っているのは、このターゲティングメカニズムで、最も急速にウイルス量を減少させ、有効性を得ることができます。

そのデータが今年の年内には出てくると思います。

村岡：この試験に関しては、あまり私はなじみがないんですけども、そのポジショニングとしてはどのように考えていらっしゃるでしょうか、RSV の治療としては。

ケラー：小児と成人の両方を対象として検討しております。ワクチン接種を考えると、アメリカでは妊婦を対象として、より包括的にカバーされていくかもしれません。そして、高齢者においては、新しい RSV ワクチンが登場しているものの、COVID-19 後には、ワクチンに対するレスポンスがよくないという状況もあります。そして、安全性ということにおいても重要だと考えています。

村岡：S-337395 という御社の化合物でありますけれども、臨床的なデータはいつ出てきますか。

ケラー：チャレンジ試験の結果が重要なデータとなります。今年度の後半のほうに出てきます。

村岡：第2四半期ですか、第3四半期ですか。

ケラー：第3四半期になると思います。

京川：次は植田さん。

植田：ゴールドマン・サックス証券の植田でございます。私から、まず最初、HIV のところで。この間の R&D ミーティングでもいただいたほうのフォローアップになるかなと思うのですが。

非常に御社のロングアクティングのところでポジショニングが良いというところをご説明いただきました。一方で経口薬のほうでは、ドルテグラビルで先行した中で、かなり Gilead 社のマーケティング力も強く、Biktarvy のほうが伸びが大きかったというところもあったかなと思いますが。

このロングアクティングのところで同様にならないために、どのような開発戦略を取っていくのかですとか、この辺り、競合リスクということを考えたときに、われわれとしてどういったところを考えておけばよいのかというのを教えていただけますでしょうか。

ケラー：私たちは、ロングアクティングに関しましてかなりの時間的なリードを取っていると思います。一方で、患者さんの体験としてまだ私たちも改善の余地があります。

一つは、2 カ月ごとの投与から、4 カ月ごとの投与への移行にすでに取り組んでおり、やがては6 カ月ごとの投与に移行したいと考えています。もう一つは、現在のフォーマットです。2つの比較的大きなサイズの注射剤となっています。次世代の4 カ月ごとの投与では、改善されないかもしれませんが、もっと長期的な目線で考えて、Gilead 社などの競合品が出てきた際に、そのサイズを少なくする、そして各注射の頻度を少なくすることができれば、アドバンテージになると思います。

そして、複数のオプションを含むフォーマットを提供できれば、患者さんにとってより使いやすくなると思います。この点についても検討しています。

手代木：ViiV 社も含めてすごく一生懸命見ようとはしているんですけど、あまりクリアじゃないんですね。なので、多分ビクテグラビルをベースにしながら、それをロングアクティングにという辺りが一番入りやすいんだらうとは思いますが。特許情報もわれわれはそれなりには洗っている

ので、そんなにウルトラノーベルなストラクチャーのインテグレース阻害剤をやってられるとは思っていないんですけれども。

ただ、いずれにしても臨床データも含めて少な過ぎて、どのくらいコンペティティブなのかというのは今の段階では分かりにくい。なので、ジョンが言ったように、先んじていろんなことはやっておこうということで、例えば皮下注でホームインジェクションであれば、1カ月に一回ぐらいでも患者さんは喜んでいただけるかもしれない。

でも、自宅で皮下注やっているってことは、多分、患者さんのご家族には分かっちゃうから、コンビニエンスだけど、そんなにプライバシーという点からは優れていない。でもそういうニーズもあるだろうということで、フォーミュレーションとかについては随分工夫をしなければいけないかなとは思っているんですが。

最終的には、われわれが説明申し上げたように、やっぱりもっと耐性ハードルの高いインテグレースであるとか、それから彼らは多分インテグレース阻害剤、プラス、カプシド阻害剤で来るんでしょけれども、カプシド阻害剤の耐性ハードルは決して高くないということからすると、リルピビルンはベストに使いやすいとは言いませんけれども、やはり NNRTI としては、それなりにエスタブリッシュされたクラスですから。カプシド阻害剤とか NNRTI を含めて、パートナードラッグでもいいものをつくらせていただいて、半歩、一步、常に前を歩いているという形をつくり込むのがわれわれにとっては一番重要です。

これで Gilead 社のインテグレース阻害剤の、例えば 2 カ月、4 カ月、6 カ月みたいなデータが出てきたときには、本当にどのくらい脅威なのか、あとマーケティング戦略とかでわれわれが負けるような話なのかというのは少し考えなきゃいけない。

Apretude に関しては、私は相当アドバンテージがあると思っていて。カプシド阻害剤の PrEP の試験が Gilead 社には珍しくずっと遅れていて、相当いつもきちっとやってこられるんだけど、もう今、1 年以上遅れているんですよね。Apretude の対オーラルのメール、フィーメル両方の結果ってすさまじく良くて。あのレベルの PrEP をやろうとすると、多分みんな大変だろうなとは思っています。

それを含めて、カプシド阻害剤の PrEP の結果が本当に Apretude をしのいでくるのかどうかをわれわれは注目していますし。そうでなければ、彼らはもしかしたら PrEP をもう 1 回インテグレース阻害剤でやり直してみたいなこともあるかもしれないので。そうなってくると、相当われわれはアドバンテージがあるだろうなと思っているので。

PrEP のマーケットはどこまで広がっていくのかというのは、保険のペイメント、特にアメリカではペイヤーがどのくらいカバーしてくれるのかということですが、少しずつそっちに動いていますし、PrEP は結構独占できるかなと今のところは思っています。

京川：松原さん。

松原：野村證券の松原と申します。二つお願いします。

一つ目が、無呼吸症候群を含む睡眠障害についてです。以前御社からのご説明で、こういった睡眠障害を直していくことによって、さまざまな疾患のもととなるものを治していくと。今回、S-600918 と併用 X が始まるということで、これ以外にも御社が今考えている新しい薬剤であったり、今後の展開というところはどうなんでしょうか。

ケラー：まず、S-600918 のコンビネーションですが、これが最初の臨床開発のプログラムになります。一方で、われわれには様々なターゲットを検討する創薬のプログラムがあります。今後、無呼吸症候群に関しましては、ジョイントベンチャーを介して、臨床および疾患に関する知見を深く理解しながら、われわれの低分子のノウハウを使った化合物の開発を行ってまいります。

手代木：Apnimed 社からすると、このメカニズムとこのメカニズムの組み合わせは絶対いいはずだと考えているものが、今までの経験からあると。その対象となる化合物のうち、一つが古いものでベストとは言い切れない。そこでうちの低分子チームが出てきて、そのメカニズムでもっといい化合物を作れば、前に進むのではないかと。そういったことで、うちの中では2つくらいのプロジェクトを動かしています。アイデアは彼らはよく持っていると思っていて、その考えのもと、活性が10倍とか100倍ある化合物をうちが作ることができれば、ものすごいコンビネーションができるかもしれないと、我々は動いています。4つある睡眠時無呼吸症候群のうちいずれもが、一つの薬剤ですと治療できるとはわれわれも考えてはいませんが、いろんなものの組み合わせを、どこまでツールとして持ち得るのかというのが今の大きな 이슈で、その問題を解決するために、うちと Apnimed 社というのはとてもいい組み合わせなのかな、とわれわれ自信も考えています。

松原：ありがとうございます。次にレダセムチドについて教えてください。表皮水疱症の申請が2026年度になっていますが、こちらは患者リクルートが難しいのだと考えています。スライドには、リクルート促進のための各種施策と記載されていますが、こちら具体的な取り組みについて教えていただけないでしょうか。

ケラー：リクルートメントの状況として、患者のクライテリアを厳密なものにしており、リクルートメントが難しくしております。非常に患者さんの数が少ない希少疾患であります。私たちと協

力している主要な専門家と共同でリクルートを行っておりますが、条件に合う患者を見つけ、その患者に治験に参加する意思がないといけないので、試験にはもう少し時間がかかります。

松原：これまでは1症例というお話だったと思いますけれども、今現在はどうか。

ケラー：今は2症例です。

手代木：やはりある意味でどこかで当局に見ていただいて、その後、Phase 4 的にデータを積み上げるとい形に変えていただかないと、すごく難しいと思いますね。

僕らはキッセイ社と組んでいるロバチレリンもそうですけれども、日本でレアディジェズを開発するというのはとても難しくなっている感じがするので。これもそうですけれども。

先生方の集まりの中では、ちゃんと患者さんがどこにどうおられるのかっていうのは分かっているつもりなので、そのお願いはしているんですけど。でもクライテリアが厳しい中で、フォローアップも含めて、通常の日常診療ではもうこんなのできないよみたいなこともあるので、なかなかリクルートメントは苦労していますね。でも患者さんは待ってらっしゃるので、なるべく早く提供したいですけどね。

松原：ありがとうございます。

京川：橋口さん。

橋口：大和証券の橋口です。よろしくお願いします。

戦略と、それを裏付ける仕組みづくりについての質問です。スライドの28ページが、もう本当におっしゃるとおりだなと思ってまして。肥満症が今非常に注目されて期待されているのは、それを治すことでいろんな病気の改善に結び付くというところだと思うんです。

御社はS-309309 だけじゃなくて、これまで長年、肥満症に挑戦されてきて、そこを先見の明というのはおこがましいというか失礼かもしれませんが。あらためて何をやるかというところの目標設定は、一歩、二歩リードされているなという感じはします。

ただ、市場が顕在化する前に、ここに書いていただいている対象を選ぶ、これをどうやってやるのかということなんですね。肥満症みたいになっちゃうと、もう今からだと競争が非常に激しいと思いますので、じゃあ、S-309309 の次、次とかというのに、必ずしもコストエフェクティブなのかと。やはりこうなる前に、次はここだというのをどうやって選ぶのか。それを経営としてしっかり選び出して、そこに資源をしっかりと投下できる仕組みをどうやってつくっていくのか。

肥満症はなんでそれがうまくいったのか、少なくとも領域というところと言うと。あと、今後については、どうやってそれを成し遂げようとしているのか。結果的に今選んでいるのはこれですというのは30ページで紹介いただきましたけど。これをどうやって選んでいいのかとか、今後どうやって選んでいくのかというのをお聞かせいただけませんか。

手代木：中計の中のプレゼンテーションに考え方は入れさせていただいたつもりですけども。現時点の地球全体で80億人ぐらいの人口がいて、これが20億人ぐらい増えて100億人ぐらいになっていくだろうと。先進国は先進国なりの保険財政上の問題等を皆それぞれに抱えていて、伸びるマーケット、人数で考えると、LMICsとかが伸びていくだろうと。でもそこはそれで医療制度としてのインフラが不十分だったり、高いお金で薬を本当にお使いいただけるのか。そういう意味では、まだ市場として発展途上である。

こういったことをうちの会社の中で、随分若い人も含めてお話をさせていただいた上で、まだ潜在状態だけれども、顕在化したときに、特に若い人、20代、30代の、あなたたちがこんな薬があったらいいよねという、60歳になったときに、70歳になったときに、こういうものが解決してたらいいよねというのを話をするというのをどのぐらい、ある意味では地道に続けていくかだと思います。

自動運転、それからスマホ、バーチャルリアリティ含め、皆さんのライフサイクルが変わっていかれる中で、どこが皆さんのお求めになられる、こんなのがあったらいいですか、というのを考えて。それを、例えばわれわれはどちらかというと低分子に強いので、経口剤であったり、一治療1億円とかじゃなくて、もうちょっとアフォーダブルな価格で何とかならないかということから、疾患を選んだ上で、じゃあそれって現実的なのか。ジョンとかうちの立花の強みは分かったけど、じゃあそういう疾患をやっているところ探しにいくわと言って、今回の Cilcare 社さんも、多分ほとんどの方はご存じなかったと思いますが。

やはり難聴をやるんだったらこういうところと組もうと、もう1年ぐらいかけてそういう人たちと話をしながら、ベンチャーファンドにもわれわれは結構出資させていただいていて、その目利き力のあるような人たちとコンスタントに話をしながら、じゃあ Sleep apnea だったらとか、難聴だったらとか、サルコペニアだったらとか、ということ話をしながら、現実的にわれわれの持っている、ヒト、カネ、モノでやれることを選んでいくと。

これも広げ過ぎちゃうと、全部のところにかかる資源が薄まってしまって、本当に作品として仕上がるのかということもあるので。多分やりたいことはうちのジョンのところはもっとあるんだろうけど、そうは言うけど、プロジェクト、三つとか四つぐらいにしておかないと、そんなにできない。こうなると例えば Phase 2 とか Phase 3 でいい結果が出たというところは、能書きだけじゃ

なくて見せてよというフェーズになっているので、今はそこに集中するフェーズだよねということで、そんなに広げずに、これで結果を出すと。

ただ、プロセスとしては、そこに至る過程を、そういうような考え方で議論しながら、どういう疾患を狙おうかと、そんなことをやっている人たちは世の中にいるのかということで結構探し回って、そういう人たちと話をしながら、じゃあ組めるんだったら組もうかということで今やらせていただいていると、そういうところです。

橋口：よく分かりました。ありがとうございます。

京川：ありがとうございます。和田さん、どうぞ。

和田：SMBC 日興証券、和田と申します。よろしく申し上げます。

私は、モダリティの戦略についてお伺いしようかなと思っています。プレゼン資料でもいただいたとおり、低分子を中心に据えていただいているというところではあるんだと思うんですけども。新しいモダリティに挑戦されていると。資料だと 15 ページ目です。ワクチン、抗体、ペプチド、核酸辺りにも手掛け始めていただいているところだと思うんですけども。

お伺いしたかったのが、これは一番最初の 5 ページ目ですかね、中長期のところの利益率のお話です。2030 年 8,000 億円目指されているというところと、利益率がどうなると見立てていらっしゃるかというのをお伺いしたくて。

モダリティが、やはり少なからずワクチンであるとか、抗体であるとか、バイオ医薬品側に振れていくことによって原価率が上がっていくので、どうしても利益率としては下がっていく方向にあるのかなと思っているんですけど。この辺りの見立てをどう今見てらっしゃるかというところ。

あとは、低分子で突き進んでいくというのを一つ戦略としていただいているところではあるんですけども、そうするとやはり競争が多いかなと。新しいモダリティであれば、より競争となる会社が少なくなるので、ある程度ブルーオーシャン的なところで戦えるということがメリットとしてはあるのかなと思っています。

その辺りの競争に対する打ち勝ち方ということで、御社の SAR のところが強いのはよく理解しているんですけども、その辺りで御社が勝ち抜いていけると考えていらっしゃるポイントをお伺いしたいなと思っています。

手代木：可能かどうかはともかく、この R&D Day のときにも申し上げたつもりですが、投資を推進して、社内的にはちゃんとお金を使っていいんだよということを促進するために、今回のリビジョンの KPI としては EBITDA 出しています。やはりわれわれ経営サイドとしたら、きちっと営業

利益をデリバする、税前利益をちゃんとデリバするというのが、われわれの会社の強みだと思います。

いろんな方から、他の会社さんのお話として、ちょっと研究開発費使い過ぎちゃいましたとか、ちょっと販管費使い過ぎちゃいましたとって、何となく営業利益が下振れするというケースは結構あるけど、おたくはちゃんとデリバするよね。それは自分たちが思っているよりはケイパビリティとして認識したほうがいいと思うよ、というお言葉をいただいています。

あんたたちからしたら当たり前かもしれないけどそれ決して当たり前じゃない、ということからすると、35%前後の営業利益率を常に出せるようなビジネスのポートフォリオ、もちろんロイヤリティも入れなきゃいけないし、実売りもなきゃいけないし、低原価率のもの、高原価率のものも全部含めるけれども。でも35%程度の営業利益率をどう維持するんだらうかということを考えながら、今度は売りを伸ばしていくフェーズだというのが今のわれわれの考え方なので、それを何とか実現したい。

ですから、売りが伸びた結果、営業利益率が下がる方向ですというのは、われわれが志向している方向性ではないとは思っています。ただ、それは現実にできるのかと。いろんな会社さんで、例えば8,000億円、9,000億円売ってて、常に営業利益35%出しているような企業ってそんなにたくさんないわけですから。

ビジネスモデルとしても確立している話ではないですけど、われわれとしてはそこを目指していきたい。いろんな会社のもの考え方を、僕らがモダリティを増やしている理由は何かということ、疾患を治したいからであって、その治すべき疾患に最も適切なモダリティを、たまたまうちが能力がなくてできませんというのは本末転倒だらうということ、ケイパビリティとしては持ちたいと。

疾患ありきだし、患者様ありきだということからすると、これはうちではできないんでというのは言いたくないよねということで、モダリティの多様性というのは追っていかうということなんです。

低分子に関しては、私、和田さんとは全くディスアグリーで、世界中で低分子能力を持って進んでる会社がそうたくさんあるとも思いませんし、これから増えるとも到底思わないので。どちらかというと低分子領域がうまくはまればそっちがブルーオーシャンで、どっちかというと細胞治療、遺伝子治療、ラージモレキュールとしての抗体とか、そっちがレッドオーシャン化していつているのではないかとわれわれは思っています。

いろんなメガファーマと話をすると、いや、おたくの低分子と組みたいんだけどという声はいくらでもいただくので、そちらはもう明らかに競争力をわれわれは増していると思います。

一方で、少し生臭い話をすると、例えばわが国のメディシナルケミストの学生さんの量とかは激減しているので、確保するのはものすごく難しくなっています。なので、私どもは薬学とかからはもうほとんど取れないぐらいの状態になっているので、理学、工学、農学辺りでいろんな合成をやっ
ていらっしゃる方を入れさせていただいてから、メディシナルケミストとして育てていくというプ
ロセスをわれわれは組んでいます。

海外の方も含めて雇いたいという点では、今回の Qpex 社のアレンジメントなんてとてもよくて、
いやいや、抗生物質やれるんだったら戻るわって行って人が集まってきているのも、低分子やりた
くても誰もやらせてくれないし、そんな場所なかったという人たちが、やらせてくれるんだっ
たら戻るわというふうに戻ってきてくれています。そこで強みというか、われわれの差別化とい
うのできるようになればいいなと考えています。

京川：曾木さん。

曾木：よろしくお願ひします。R&D にフォーカスした話というよりも、もっと会社全体のお話を
伺いたいんですけれども。

まず、長期と短期で伺いたいんですけれども。長期に関して、今本当におっしゃっていたように利
益率というお話をされていましたが、御社の場合は 50%ぐらいがコストフリーのロイヤリ
ティから来ているということで、その部分があるが故に今大変成功されている一方、そこがなくな
ったときの利益率の確保、また特にボトムラインの確保というのはかなりチャレンジングになっ
てくるのではないかなと考えています。

このときに、今、将来的に 2031 年にロングアクティングがどのくらいになるかというので、治療
それから予防に関してパーセンテージを示していただいています。多分これがベースラインの御社
のフォーキャストだと思ひますけれども。

今、このベースラインのフォーキャストにおいて、御社がされているセールスフォーキャスト、ま
たボトムラインのフォーキャストだと、今の経口から LA にトランスファーしていく形で、今の御
社の言われている利益率の確保、またはこれからさらに進展していくということが言えるとい
うような、今そういう計画でいらっしゃるんでしょうか。

手代木：もちろん数字なしにこんなことは言っていないので。ViiV 社とのお付き合いの中で、こ
のぐらいの売りに対してこういうロイヤリティ、全部開示していませんけど、こういうところでこ
ういうロイヤリティがこういうふうに来るといふのも全部計算した上での数字です。

彼らは彼らなりに、ViiV社ですけれども、ドルテグラビルのクリフが来たときに、そんなこと言うけど1剤で使うDovatoはそれなりに残るよとか、いろんなことを含めて、去年の9月にHIV Dayで言っていますので、そんなにいきなり経口剤だってゼロになるわけじゃないし、LA製剤はこういうふうになっていくよというのをわれわれなりにコンサバに見て、その地域ごとのロイヤリティがこうでという話を自分たちで計算をして、クリフないねということで、多分28年がちょっとフラットになるぐらいで、落ちはしないと思いますけど、そこから先もまた伸びていくというのがわれわれの考え方です。

ただ、これも特許等をいろいろご覧になられている方が、でもそれって33年ですよねとか、38年ですよねとか、35年ですよねって、いろんなご意見をおっしゃられるので、われわれはそれに対してはYesもNoも答えていませんが。いずれにしても、どこかで何か起こるんだらうということからすると、そこを埋めるためには、さらにその先の長い、われわれとすると強い知財をもって新しい品目を出し続けていかなきゃいけないだらうというのは明らかなので。

今見えているのはS-365598ですけれども、加えてロングアクティングで、さらに耐性ハードルの高いインテグレース阻害剤であるとか、パートナー化合物をつくって、ViiV社が開発をして進めていくということで、2030年から2040年とかまでも、少なくともベースとしてのロイヤリティ、このぐらいの金額というのは来るよねというのを計算して、逆算すると、じゃあいついつまでにViiV社に、例えば新しいインテグレース阻害剤を出さなきゃねとか、パートナードラッグ出さなきゃねというのに対して、そのタイムラインが引かれるので。

そうすると、ジョンのところは、いや、これってそんなにゆっくりしてられないから、今ケミストのリソースとしてはHIVにドーンとかけてでも、とにかくものをつくらないとねということで、この間お見せしたような絵に現時点でなっているということなので。

2030数年ぐらいまでは、人によっていろいろ違うかもしれませんが、まあそれなりに安泰だという中で、でもどこかで切れるんでしようというのに対してどう応えるのかというのを現時点で考え始めているということです。

曾木：分かりました。ありがとうございます。それから2025年に関してですけれども。2025年の今のターゲットは、2024年の御社のガイダンスから比べるとトップラインにかなりギャップがあるように見えます。もちろんそれに対して2024年の間にいろいろ活動されるということだったんですけれども。

2025年のこれが行きそうだというのが、御社としてある程度自信が持てる、今の時点でもう自信を持たれているのか、それとも何かが起こるということを前提に自信を持たれているとした場合、

それはどんなことで、いつ頃のタイミングで御社としてはその確信が来ると思われているでしょうか。

手代木：もちろんそんなことは申し上げられませんが、当然のことながら。ただ、この年度末までに見えていなければ 25 年の予算は出せませんので、われわれとすると 24 年度内に、これだったら 25 年度行くねということが材料として全部そろっていなければ、それはさすがに。

なんか 25 年度中に奇跡が起こるんですわというわけにはいきませんので。24 年度内に、これとかこれとかこれが来るんだったらあるよねと見ていただけるようなことは今、あまり会社にもおらずに、いろんなところで走り回っております。

曾木：ありがとうございます。

京川：いったん Web のほうで手が挙がっていますので、みずほの都築さん、お願いします。

都築：みずほ証券の都築と申します。ありがとうございます。HIV のところで、本当に僕もコメントを最初に挟んじゃいますが、30 数年まで安泰というところはそのとおりかなと思っています。

あと、ここでお聞きしたかったのが、カプシド阻害剤を HIV の領域だと併用していくというのが他社はありますけど、僕も HIV をやっていた端くれとして、結局 HIV をカプシド阻害剤でやると変異が出てくるので。先生たちは使い勝手として、最後に回していくという過程になっていくと思います。そうすると、やはり使い勝手、安心感のあるリルピビリンの、しかも CROI のデータで出していた、半減期長くなっていますよという、CAB400 プラスリルピビリンがすごく気になっていて。

そこか、もしくは N6LS の中和抗体かのどちらかの選定を後半にされるというのが大きなイベントの一つかなと思っているんですけど。これは、具体的にいつ頃というのが、もしいただけるタイミングとかあたりするのか、まずこの点をお伺いしたかったです。

ケラー：われわれは今現在、4 カ月に 1 回の投与、カボテグラビルとのコンビネーションによる治療薬は 2027 年、それから単剤で使用する予防薬は 2026 年の発売を考えております。

それ以外にも、今現在長期作用型の、パートナー化合物を探索しております。ポートフォリオとしては ViiV 社はカプシド阻害剤を持っております。われわれはカプシド阻害剤にはフォーカスを置いておりませんが。

手代木：今年度の後半には ViiV 社から何らかの形で出てくる予定です。どういう学会でどういう形で出されるのかというのは、まだわれわれも全部理解していませんけど、今年度の中でパートナ

ードラッグとしてどういうものを、例えば4カ月に1回にするのかというのは出てくるという認識でございます。

都築：よく分かりました。ありがとうございます。もう一つ、QOL疾患のところで、睡眠時無呼吸症候群、難聴を含めて、低分子の最適化というところが、御社にやはり利があって、一方で基礎研究のところを探索してくるという点で、他社との連携というところでのマッチということはよく分かるんですけど、今後、このプロジェクトが今、難聴と睡眠時無呼吸症候群を含めてお話しただいていますが、どのくらい増やしていくのか。25年度に向けたところは、睡眠時無呼吸症候群、難聴というところで、ひとまずはひとくくりとしておしまいなのか、今後も増やすご計画なのか、この観点も教えていただきたいです。

ケラー：今現在われわれはその疾患に関しましては、この疾患の中にいろんなカテゴリーのものがございまして、患者のカテゴリーが違いますし、疾患によってもこの状況がそれぞれ違います。

例えば、睡眠時無呼吸症候群に関しましても、いろんな原因がございまして、睡眠の不安定性だとか、いろんな原因があるわけですね。それぞれの原因に対しましては、それぞれ薬剤のコンビネーションも違うものになってまいります。それをわれわれは複数の低分子コンビネーションを含めまして Apnimed 社と一緒に対応していこうと考えています。

それから、また難聴に関しましては、Cilcare 社はニューロシナプシスに注目していて、そこでのコラボレーションを低分子化合物で対応していこうと考えております。聴覚を保護するということになりますと、追加のモダリティが必要になるかもしれません。低分子では対応できないところもあると思います。

今現在、早期の開発を行っております。臨床試験を進めながら、低分子薬物での臨床試験を行いながら、新しいモダリティに関しましての可能性を探っております。

手代木：都築さんの質問に直接的に答えると、睡眠時無呼吸症候群といってもメカニズムはたくさんあります。難聴といっても別のアプローチもありますという中で、そこは取りあえず自分たちのスコープの中で考えます。

ただ一方で、今、四つ、五つ出させていただいているベンチャーキャピタルの中で、これ面白いんだけどという疾患が来たときに、そっちを取って何かをやめるのかということについては柔軟には考えたいと思っています。それがわれわれぐらいのサイズの強みでもあるので、こっちのほうが絶対面白いわっていうんだったらそっちに行くかもしれない。

ただ、リソースは限られているので、研究開発費もわれわれは1,200億円使わせてくださいとお願いしていますが、それは1,500億円、2,000億円になるという話でもないです。その予算と人の資源の枠の中で、われわれがやれると思うことについてはさせていただきたいと思います。現時点で、われわれはこの二つというのはそれなりに世界の中でもアドバンスだと思っています。

なので、勝てるところで試合をするという点からすると、ここはわれわれとしていいと思いますが、それ以外考えないのかというのは、少しそこはオポチュニスティックに考えているというところではあります。

都築：分かりました。あと僕から1点だけです。ワクチンプラットフォームのところは、今後どういったところの時間軸でものが出てくるのかということをお伺いしたいなというのが1点。

あとは、COVID-19のワクチンのところで、XBB1.5対応のPhase 3に進んでいるんですけど、これは他社だったらPhase 1だけでよかったのを、御社はPhase 3をやらされているので、そこは何とも言えないなということは正直あるなということですけど。

このPhase 3がもし未達だったときに、どういったリスクを考えておきますかという観点と、ワクチンプラットフォームのスケジュール感、ここをお願いできればと思いました。

手代木：プラットフォームに対して、他社も変異株については、取りあえずPhase 3を1回はやってくださいということで、それがそれなりのデータであれば、プラットフォームとして認める。そこから先は、いちいち臨床試験は要らないよということなので。その点では、われわれはフェアに取り扱っていただいているとは思っています。

ワクチンについては、われわれはやればやるほど面白いし深いなと思っているんですけども。まずは今年度末に始まるユニバーサルワクチンが一つのわれわれにとっての次のステップとしてのマイルストーンになると思います。

ヒトでのデータを見て、どのぐらいスペクトラムの広い中和抗体価が獲得できるのかということを見に行くわけですが。一方で、アジュバントもわれわれは今まで使っているアジュバント以外に二つ、三つ持たせていただいているので。どういうアジュバントとの組み合わせがいいんだろうかということもトライしようと思っています。

そこが自分たちのプラットフォームというか能力という点では、これから1年内外で自分たちでやれることが見えてくると思います。

一方で、ベンチャーさんでいろんなワクチンをやっている方も、かなりいろんな会社さんにコンタクトをされているので、われわれも正直申し上げると2社、3社、面白い技術を持ってい

るワクチンベンチャーさんとお話をさせていただいていますので、そこは自分たちが今後ワクチンを売っていく上で、開発していく上で、この技術はわれわれも持ちたいねということであれば、そういったベンチャーさんでワクチンをやっているところと共同で物事を進めるということは考えています。

都築：分かりました。ユニバーサルはスパイクの保存領域を見つけてやっているってことだと思いますので、期待しています。ありがとうございます。

手代木：ありがとうございます。

京川：では、Web からもうひとかた、JP モルガンの若尾さん、お願いします。

若尾：JP モルガンの若尾です。よろしくお願いします。

手代木：お願いします。

若尾：一つだけです。感染症領域以外での御社の低分子創薬力という点について教えてください。感染症領域における御社の実績および低分子創薬力というのはもう明らかだと思うんですけど。一方で、非感染症領域において、果たして御社の低分子創薬力というところに何かしら課題がないかというところが気になっています。

直近ですと、低分子におきましても、非感染症領域では導入もされていて、S-309309 の件もありますし、果たしてこの領域において御社の低分子創薬力というのが高いのかどうなのが見えにくくなっているのかなと思うので、あらためてこの部分について教えていただきたいです。

今後導入してきた、最初は他社から導入してきても、今後、御社が設計等を含めて取り入れていくことで、非感染症領域も強化していけるのかなと思うんですけど、今、実績という観点ではなかなか見えにくいので、あらためてこの点について教えてください。

手代木：とても妥当性の高い質問だと思います。われわれが悩んでるのが、動物の薬理が人間にどのくらい外挿性があるのかという点で、感染症とそれ以外では随分大きな違いがあるというのをどう埋めていくのかという点だと思います。

私どもが Apnimed 社とか Cilcare 社と組んでいる理由は、ちょっと変な言い方ですが、ほぼ動物で再現性があるモデルがそうたくさんある領域ではなくて、Cilcare 社はもともと難聴の CRO もやっているぐらいで、臨床のパネルと、どこにどういうふうに患者さんがおられるのかというのをすごくよく分かっていますし、Apnimed 社もそうです。

なので、われわれが本当に、毒性であったり安全性についてはもう万全を期しますけれども、動物でいろんなものを積み上げるよりも、ヒトで有効性を見にいけるようなモデルというのを、今回、私どもは、ある意味でエクスペリメンタルですけれども、させていただくことで、人の情報がもう一度、スモールモレキュールにフィードバックできるようなモデルというのをつくれないだろうかと思っています。

例えばデプレッションであったり、CNS系でも、私ども認知症もやっていますけれども、本当に動物実験でこのデータ出ているからって言って、Proof of Mechanismは取れるけど、人間って本当に取れるのかというと、臨床のパネルでわれわれは見させてもらうほうが、あらゆる意味でメーカーセンスだと思ってる。

今回、Apnimed社とCilcare社をはじめとするこの2領域というのは、私どもの低分子領域の感染症以外の領域をどう進化させるのかというの、ある意味で橋頭堡になると思ってやらせていただいています。ご指摘の点はとてもわれわれも重要な点だと思いますし、社内的にもそういった話をしながら、じゃあどういう領域がわれわれは行けるんだらうかということで、今回トライをさせていただいています。

若尾：よく分かりました。ありがとうございます。

京川：ありがとうございます。では、会場に戻って、追加で、村岡さん。

村岡：すみません、ポンペ病のことですけれども。ポンペ病という言い方がいいのか、小児のレアディジーズという言い方がいいのか、分からないんですけれど。ここって1本持っててもどうなんだらう、もうちょっと束にしなきゃいけない領域なんだらうと思っていまして。この領域をもうちょっとものを厚くしていくというのは、かなりリアリスティックな今後の戦略とっていいでしょうか。

ケラー：ポンペそのものご説明してから、その後、希少疾患ということでカバーしたいと思います。

ポンペ病は長く生きられますので、小児だけではありません。でも今現在は、治療といたしましては2つのERTしかございません。そして、患者さんは今の治療に満足してらっしゃいません。疾患は進行しますし、特に小児の患者さんは大変困難な状況になります。2週間ごとに病院に行って、4時間の点滴を受けなければなりません。

その酵素ですけれども、筋肉には入っていきません。なので、Maze 社のわれわれの化合物ですけれども、こちらはグリコーゲン、そもそもその産生を止めるというものになります。これはアドオンでも可能になりますし、また単剤での治療も考えられます。

こういった戦略は、大変エキサイティングだと思っております。われわれは低分子の会社ですから、高分子の治療薬しかないところに入っているというのは大変楽しみだと思っております。

また、希少疾患におけるケイパビリティに関しましては、われわれは Fragile X の領域で。プライシングや臨床試験の実施、それからコマーシャルに関して、構築しようとしています。

ポンペ病ですが、こちらはやはりスペシャリスト、そして KOL との関係性が重要になりますけれども、そのようなプラットフォームを有しております。また神経、筋肉関係の希少疾患のプラットフォームもございます。なので、この両方の化合物で希少疾患の開発を行っておりますけれども、追加の化合物を検討したいと思っております。

手代木：答えは YES です。今回のディールを見ていただいた、こういうところをやってらっしゃるベンチャーさんが結構コンタクトしていただいています。いくつかある化合物のうちで、実は Maze 社はそうですけど、自分たちはリーダーでやりたいと。でもここの化合物はすごく面白いと思うんで、誰か一緒にやってくれる人ってことで、最初に Sanofi 社と話をし、今度うちに来たわけですけど。

同じような枠組みで自分のやりたいことはここなんだけど、今までここまでやって、Phase 1b とかまで行って、これ誰かやってほしいんだけどというのを、ポンペのディールを見たベンチャーさんが結構コンタクト、それで彼、いろいろなところ飛び回っているんですけど。そこはバンドルで二つ、三つ、四つって束ねていくのが、メイクセンスだという村岡さんのお考えはそのとおりで。

われわれもそれをこっちが言うのもなんだけど、向こうからも結構言ってきてくれるようになるので。多分 Maze 社とか含めてコミュニティがあるんだと思うんですね。そういう人たちが、いや、あそこ面白いよって言っていると、じゃあコンタクトしようかなと言ってきてくださるので。今、かなり真面目に見ているのはあと一つあるんですけど、それ以外の人たちも結構寄ってきているので、いくつか束ねないといけないかなと思っています。

村岡：つつい僕らは、パートナーがこういう話を持ってきているのかなと勝手に、この話を見ながら想像はしてたんですけど。多分ここは本当いくつか集めることのほうが効率がアップできるので。

手代木：それは多分そのとおりです。

村岡：モダリティにかかわらず、この疾患の治療方法ならば、御社はフレキシブルにという事です。

手代木：もちろんです。もちろんさっき言ったように、どっちかという、低分子でこれやってほしいんだけどという話のほうが先に来やすいのはそうですけれども、でも小児の希少疾病をやるんだよねって、R&D Dayの資料とかを見ていて、ここを見てほしいんだけどというのを言っているのは確かなので。非常にわれわれとするとお付き合いしやすいところが多いです。

京川：きょうは皆様、お忙しい中ありがとうございました。

手代木：ありがとうございました。

[了]