



シオノギの研究開発

2018年3月15日

塩野義製薬株式会社



1. はじめに

- 代表取締役社長 手代木 功

2. 研究領域

- 医薬研究本部長 塩田 武司

3. CMC研究領域

- CMC研究本部長 日裏 深雪

4. 開発領域

- 医薬開発本部長 畑中 一浩

5. 本日の総括

- 代表取締役社長 手代木 功

6. 質疑応答

研究領域

医薬研究本部長 塩田 武司

R&Dのビジョン

研究：社会に応える創薬イノベーション

CMC：Benefit for Allの製品開発

開発：効率的かつ着実な開発

アクション：

- 継続的な開発候補品、開発品の創出
- 強みを基盤とした創薬モダリティの拡張
- 先を見据えた疾患戦略の拡大・シフト
- 外部連携による新たな価値の構築
- LCM*戦略によるパイプライン強化
- 臨床予測性向上に向けたバイオマーカー研究の推進



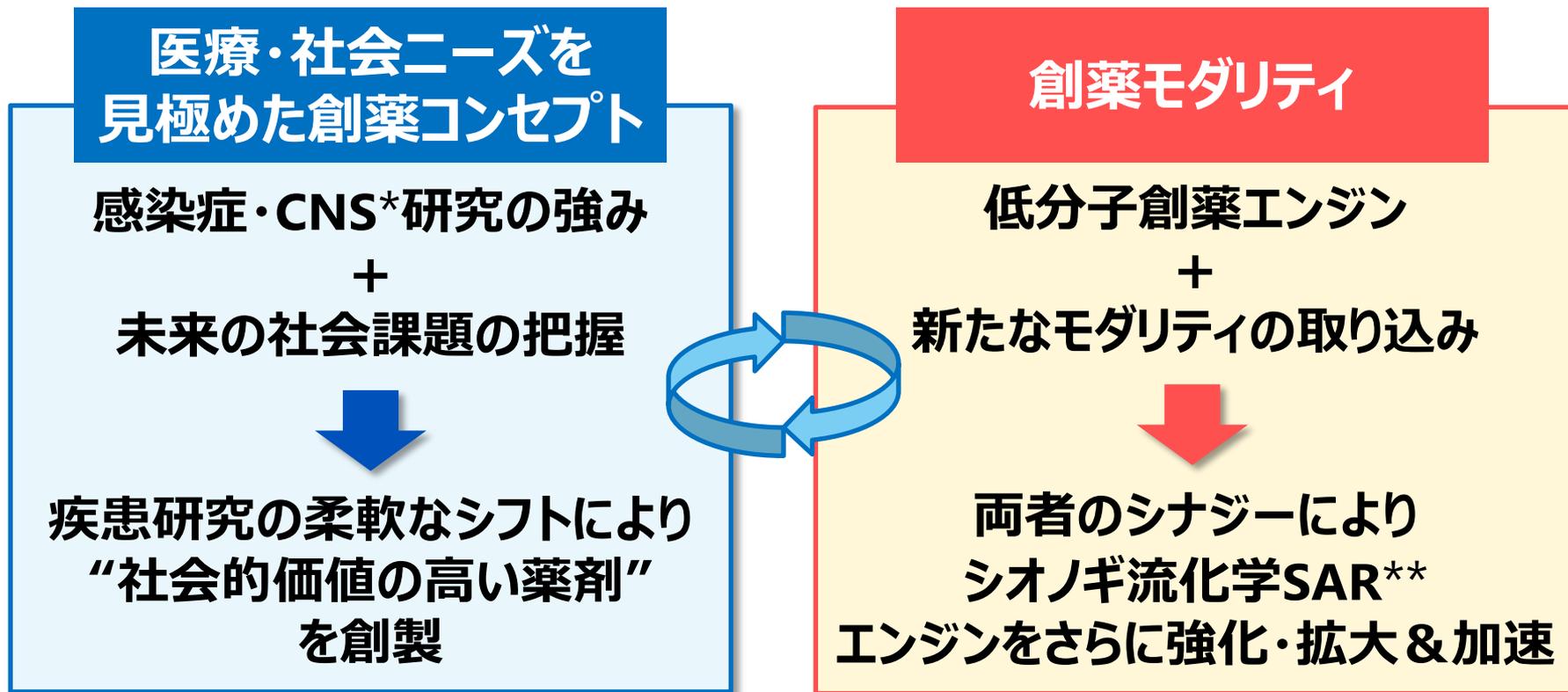
- **創薬研究における課題とシオノギのビジョン**
 - 社会に応える創薬イノベーション
- **2017年度の目標と成果 (要約)**
 - 開発品/開発候補品
 - 外部連携/バイオマーカー研究
- **2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み**
 - 疾患戦略 (感染症、疼痛・神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- **2018年度の目標**

- **創薬研究における課題とシオノギのビジョン**
 - 社会に応える創薬イノベーション
- **2017年度の目標と成果 (要約)**
 - 開発品/開発候補品
 - 外部連携/バイオマーカー研究
- **2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み**
 - 疾患戦略 (感染症、疼痛・神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- **2018年度の目標**

社会に応える創薬イノベーションを実現するために



創薬における課題：医療・社会ニーズに応える画期的新薬創製と医療経済性の両立



医療・社会ニーズを捉えた革新的な新薬を
他社に先駆けて創製する

- 創薬研究における課題とシオノギのビジョン
 - 社会に応える創薬イノベーション
- **2017年度の目標と成果 (要約)**
 - 開発品/開発候補品
 - 外部連携/バイオマーカー研究
- 2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み
 - 疾患戦略 (感染症、疼痛・神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- 2018年度の目標

社会に応える創薬イノベーション

2020年度までに開発品10品目創出

- **継続的な開発候補品、開発品の創出**
 - HIV領域での開発候補品の創出
 - 2品目以上の開発品の創出
- **外部連携を活用した創薬アウトプットの最大化**
 - 独創的な創薬プログラムの立ち上げ
 - 創薬プログラム推進のための新規産産連携の開始
 - 共同研究創薬プログラムにおけるマイルストーン達成
 - 臨床予測性向上にむけた研究成果の創出
- **新規創製PETイメージング用化合物の臨床適用性の検証**

2017～2020年度の4年間で自社/共同研究から 臨床入り開発品を10品目以上創出する

- 2017年度の目標 – 継続的な開発候補品、開発品の創出 –
 - > HIV領域での開発候補品の創出
 - > 2品目以上の開発品の創出
- 2017年度の成果

新規メカニズムの抗HIV薬開発候補品の創出 (p16)

ワクチン用核酸アジュバント開発候補品の創出 (p32)

中国子会社C&O由来の抗結核薬開発品を選定 (S-004992) (p19)

幹細胞誘導作用をもつ新たな脳梗塞治療ペプチド薬開発品の創出 (S-005151) (p87)

既存薬よりも強い薬効が期待される中枢性神経障害性疼痛薬開発品の創出 (S-637880) (p23)

副作用の低減が期待されるピレスパ吸入薬開発品の創出 (S-770108) (p50、83)

• 2017年度の目標

- 外部連携を活用した創薬アウトプットの最大化
 - > 独創的な創薬プログラムの立ち上げ
 - > 創薬プログラム推進のための新規産産連携の開始
 - > 共同研究創薬プログラムにおけるマイルストーン達成
 - > 臨床予測性向上にむけた研究成果の創出
- 新規創製PET*イメージング用化合物の臨床適用性の検証

• 2017年度の成果

PDPS**技術を導入し、創薬プログラムを複数開始 (p30)

薬剤送達技術とペプチド修飾技術をもつPharmaINと共同研究を開始 (p49)

感染症予防ワクチンに強みをもつUMNファーマと業務提携

日産化学との協業を拡大

S-637880においてヒトへのマイクロドージング試験を準備中 (p23)

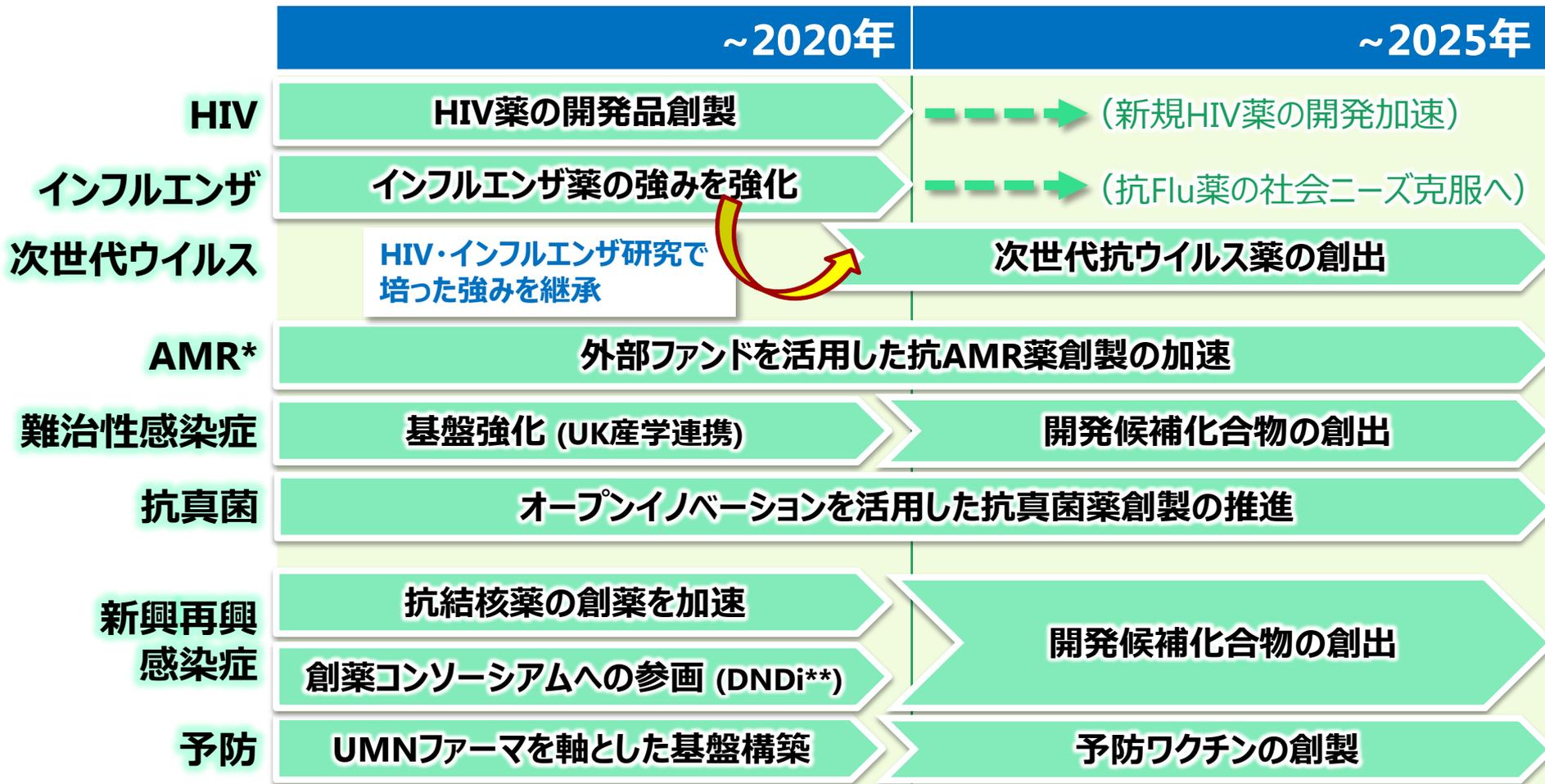
SKプロジェクト***から新規創薬プログラムを立ち上げ (p25)

- 創薬研究における課題とシオノギのビジョン
 - 社会に応える創薬イノベーション
- 2017年度の目標と成果 (要約)
 - 開発品/開発候補品
 - 外部連携/バイオマーカー研究
- **2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み**
 - 疾患戦略 (感染症、疼痛・神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- 2018年度の目標

- **新規メカニズム抗HIV薬** ref. p109マップ°
- **S-004992** (抗結核薬) ref. p111マップ°
- **S-637880** (神経障害性疼痛治療薬)
ref. p111マップ°

優先品目については、P109～P111のマップ°も併せてご覧ください

感染症領域の創薬戦略

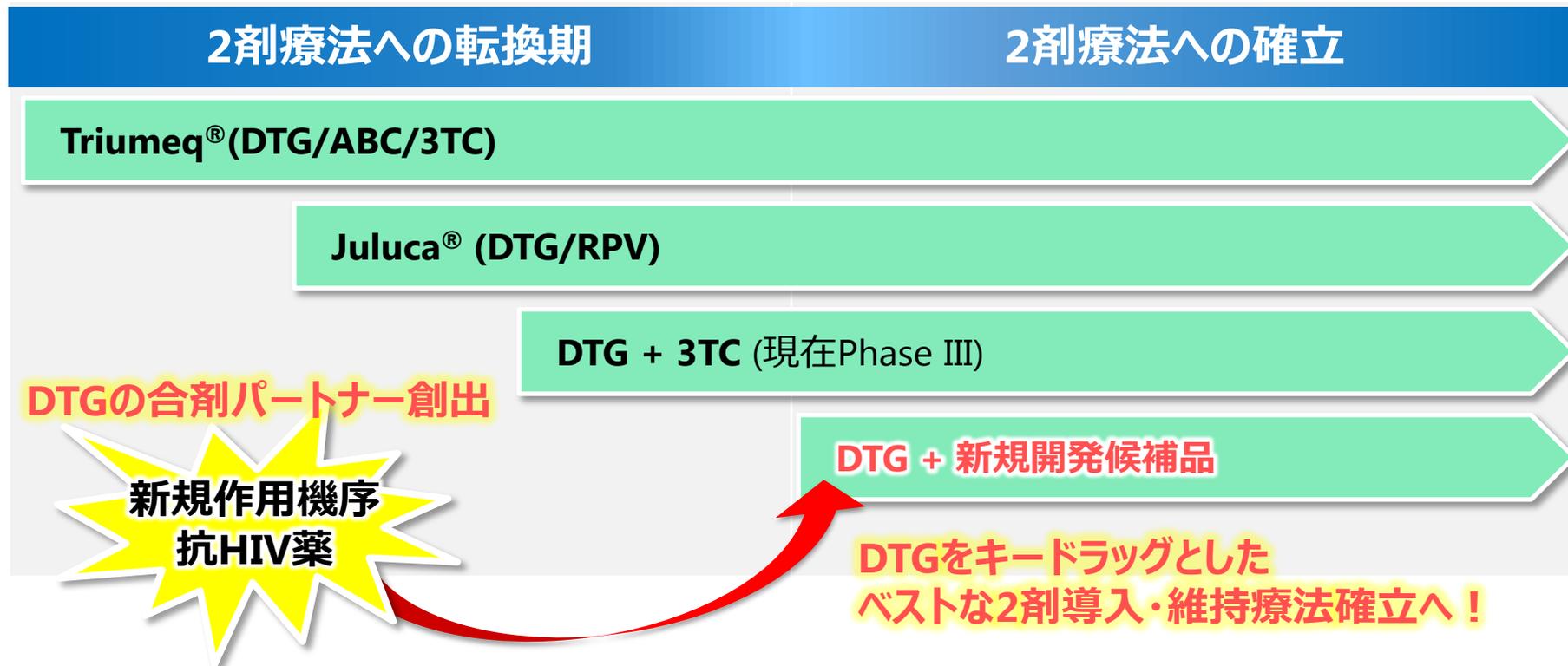


短期) HIV・インフルエンザに注力しつつ未来への種まきを実施
 中~長期) 次世代ウイルス・難治性感染症・結核・予防へと注カシフト

新規メカニズム抗HIV薬

ref. p109マップ°

抗HIV薬市場は3剤併用から2剤併用時代へ



ドルテグラビルのベストパートナーとして位置付け
2剤療法 (導入・維持) を確固たるものにする

S-004992
抗結核薬

ref. p111マップ°

世界3大感染症*のひとつである「結核」は、
シオノギがグローバルに取り組むべき大きなテーマ

新規罹患推計1040万人/年**、全世界で437億円の市場規模***（2016年）

多剤耐性結核菌、超多剤耐性結核菌が近年大きな問題に

HIV感染者における結核菌の感染（AIDS患者の死因第1位）

中国グループ会社C&O：新規抗結核薬候補 S-004992 創製
シオノギ：グローバル開発をリード

2018年度、中国におけるPhase I入りを目指す

ファンドやオープンイノベーションを活用し、
グローバル開発の加速と新たなパイプライン構築を実現



S-004992の非臨床プロフィール

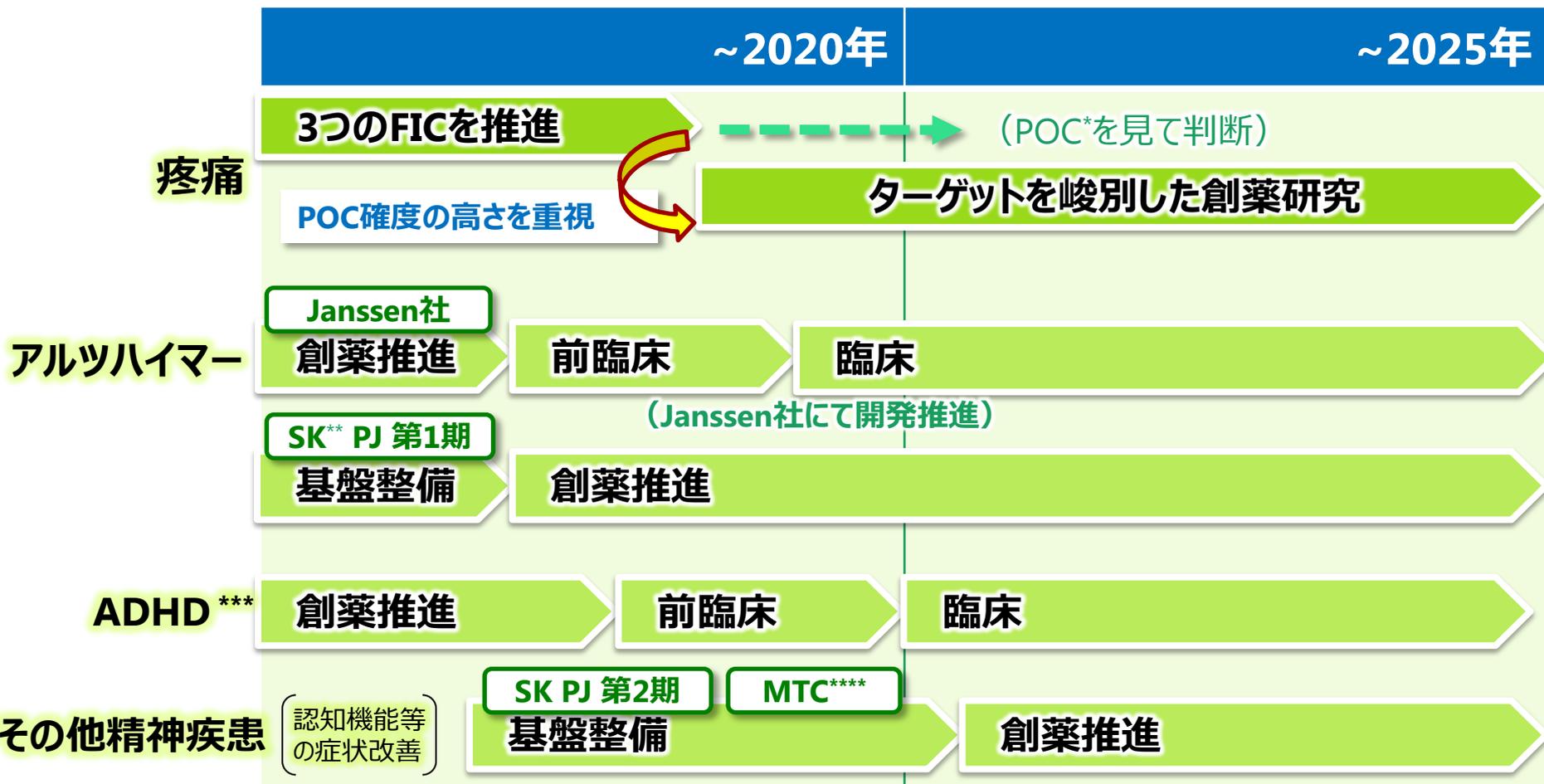


- 現在の標準療法：リファンピシン及びイソニアジドを含む3剤、あるいは4剤併用で2ヶ月間投与した後、リファンピシン及びイソニアジドの2剤併用を4ヶ月間
- 近年上市された新薬：安全性の懸念、高薬価などの影響で十分に市場に浸透していない

	S-004992	承認済み類似薬
用法用量	1日1回、低用量	1日2回、200 mg/日
溶解性、吸収率	いずれも高い	いずれも低い
肺移行性	極めて高い	中程度
QT延長	リスク軽減	高い発現率
製造原価	LMICs*にも供給可能	極めて高い

S-004992は抗結核薬のアンメットニーズを充足する可能性

疼痛・神経領域の創薬戦略



疼痛領域：創薬研究はターゲットを峻別

神経領域：基盤構築に外部連携を活用し次世代精神薬の創製を加速

S-637880
神経障害性疼痛治療薬

ref. p111マップ°

個人が生き生きとした社会創り

2016年10月31日SGS2020updateより

疼痛・神経



社会課題の解決

神経障害性疼痛の維持・増悪に関する
新たなキーマカニズムに作用する S-637880

慢性疼痛
メカニズム

神経障害

標的細胞の
活性化

標的分子の
活性化

仲介物質の
放出

痛み増幅

- 臨床エビデンスを有するキーマカニズムがターゲット
- 明確なバイオマーカー候補分子が存在

疼痛領域の開発課題を克服し、新たな治療オプションの提供へ

新規疼痛治療薬の開発成功への新たな価値創造プロセス

バイオマーカー

- キーメカニズムが関与している神経障害性疼痛患者を選抜可能
- 開発の効率化と確度向上に

マイクロドージング試験

- 臨床PET*イメージング技術活用
- 臨床用量や用法最適化に



バイオマーカーを有効に活用し、確実なPOC獲得を目指す

A β 仮説の早期治療介入とは異なる 認知機能障害を改善する創薬にチャレンジ

シオノギの
創薬アセットを
最大活用



最先端の
アカデミア研究
者を招聘

疼痛神経領域をコア疾患
領域とした新薬創出のノ
ウハウを保有



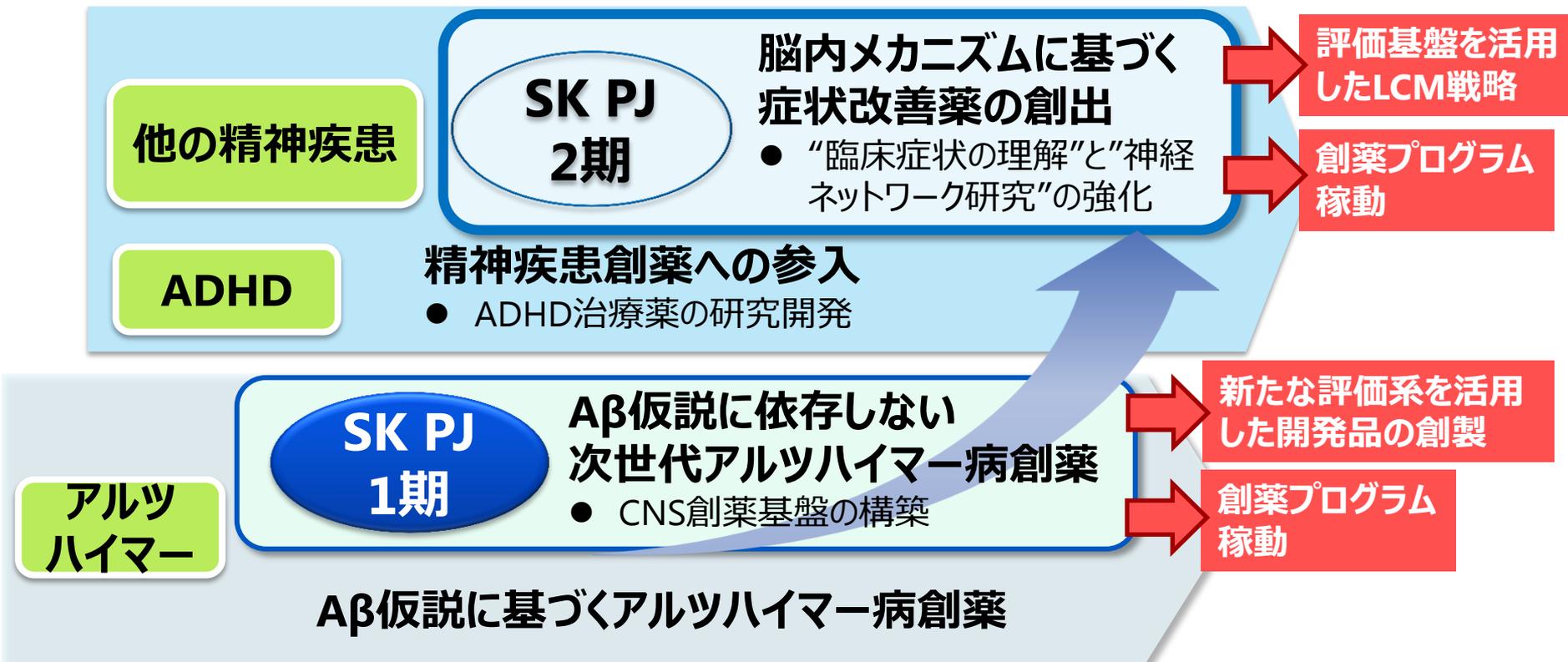
エピジェネティクス/シナプ
ス・神経機能の研究にお
いて世界トップクラスの研
究力

記憶・認知機能の非臨床評価基盤の構築と
独創的な創薬ターゲット分子の獲得に成功

CNS疾患におけるSKプロジェクトの展開



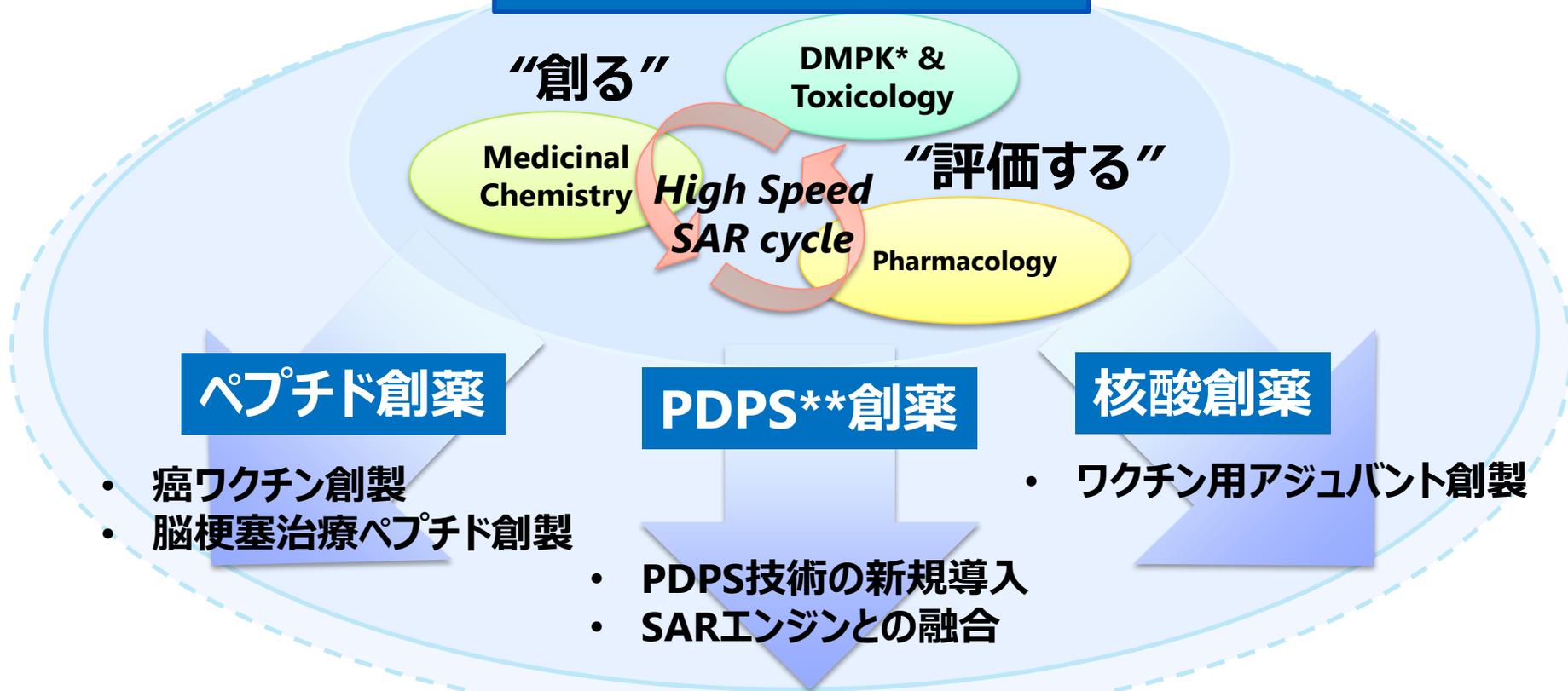
神経・精神疾患が及ぼす社会的インパクト(経済的損失と社会負担)は大きく、患者さまの“生きにくさ”を改善するという医療・社会ニーズに取り組む



SKプロジェクトで構築したCNS評価系を活用し
精神疾患の脳内メカニズムに基づく治療薬の創出を目指す

- 創薬研究における課題とシオノギのビジョン
 - 社会に応える創薬イノベーション
- 2017年度の目標と成果 (要約)
 - 開発品/開発候補品
 - 外部連携/バイオマーカー研究
- **2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み**
 - 疾患戦略 (感染症、疼痛・神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- 2018年度の目標

低分子創薬SARエンジン



低分子創薬の強みを基盤とし、医療・社会ニーズに応えるための中分子創薬 (ペプチド/核酸) を拡張

- ペプチド医薬品
- ワクチン用核酸アジュバント ref. p110マップ

PDPS創薬プラットフォーム



[PDPS]

特殊環状ペプチド



- 低コスト少タスクで、スピーディにスクリーニングが可能
- 高確度で高活性のペプチド取得
- 高難度ターゲットでもヒット取得可能

[プラットフォーム]



3つの波及効果

培ったSBDD**技術を駆使し、
新規ファーマコフォア情報を活用

PDPS SARにシオノギ化学力を
組み合わせて更に最適化

高活性ペプチドをバリデーション
ツールとして活用

自社の強みとPDPSを相乗的に活用することにより生産性の
劇的な向上を図り、affordableな薬を継続的に創出する

PDPS創薬の成果



[2018年3月時点の状況]

創薬フロー

FIC*/LIC**
化合物

高難度標的
創薬アイデア

ターゲット
バリデーション

ヒット化合物
スクリーニング

ヒット to
リード

リード化合物
最適化

領域

感染症

神経痛

その他

共同研究
3つのプロジェクト
で高活性ペプチド
ヒット取得

社内
新規プログラムを
連続して立ち上げ

2020年度以降、開発候補品/開発品を連続的に創出

低分子創薬で培った合成化学力を基盤に
新たな創薬モダリティとしてプラットフォーム構築

シオノギ独自の
核酸化学修飾・デザイン力

DDS* (薬物送達技術)

核酸を基盤とする多様な
生理機能制御アプローチ

アジュバント、siRNA、etc.

核酸プラットフォーム

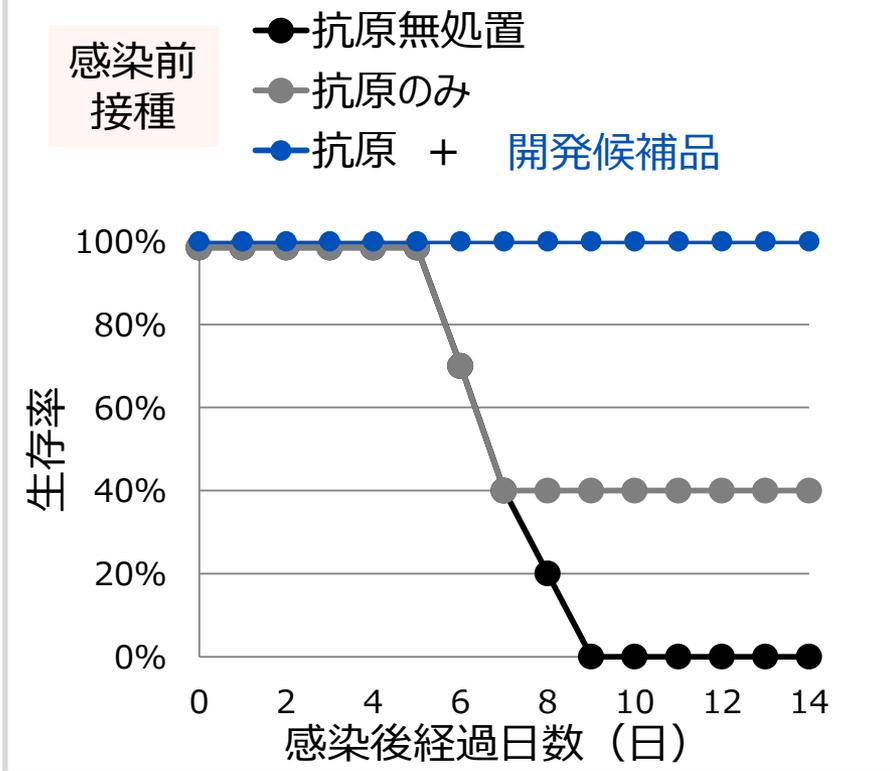
- ・ ワクチン用核酸アジュバント開発候補品の創製
 - ・ 低分子創薬が困難なターゲットに対する遺伝子制御によるアプローチ
- アジュバント、siRNA技術による連続的なアウトプット体制構築

核酸創薬の成果



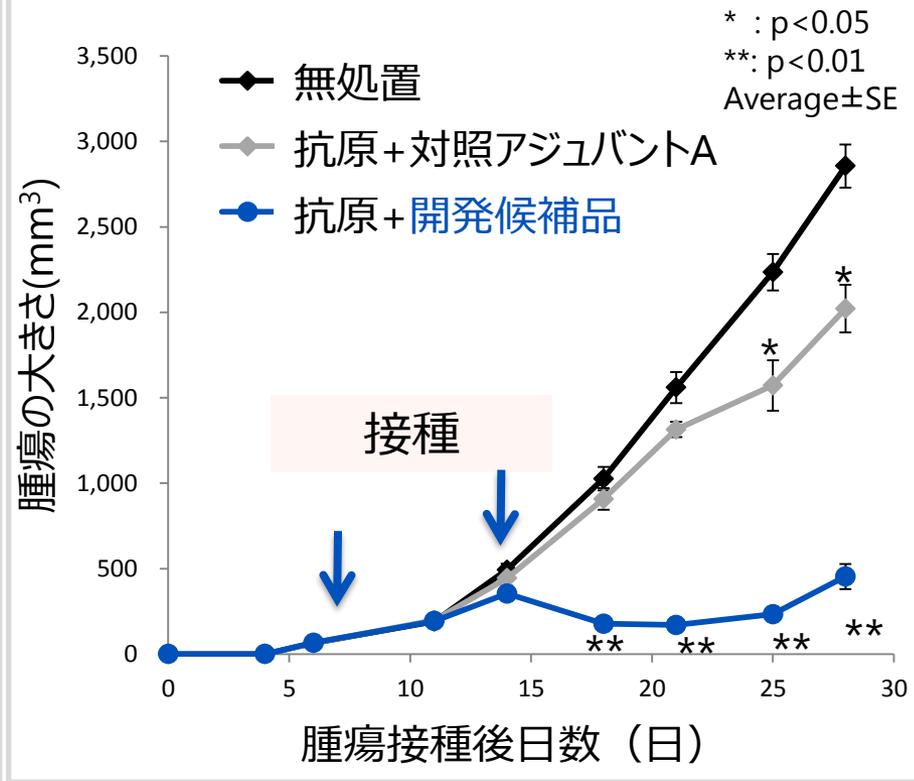
感染症ワクチン 増強効果 (非臨床)

2020年度
臨床入り



がんワクチン 増強効果 (非臨床)

2019年度
臨床入り



独自のプラットフォームから見出した新規核酸アジュバントを
基盤研*との共同研究を通じてその価値最大化へ

- 創薬研究における課題とシオノギのビジョン
 - 社会に応える創薬イノベーション
- **2017年度の目標と成果 (要約)**
 - 外部連携/バイオマーカー研究
 - 開発品/開発候補品
- **2017年度の成果と2018年度に注力する取り組み**
 - 疾患戦略 (感染症・中枢神経)
 - 創薬モダリティの拡張
- **2018年度の目標**

社会に応える創薬イノベーション

2017年度～2020年度までに開発品10品目創出

- **継続的な開発候補品、開発品の創出**
 - 開発候補品を**3品目創出**（17年度実績 2品目）
 - 開発品を**2品目創出**（17年度実績 4品目）
- **創薬生産性向上を目指した打ち手の実施**
 - PDPSによる**5プログラムを開始**し、ヒットペプチド獲得
 - 創薬プログラムの加速に向けた**新規産産連携の開始**
 - 創薬標的獲得を目指した**新型公募企画 (FINDS Targets) 実施**
 - **新規PETイメージング化合物**による開発効率化を目指した臨床試験の実施

新型FINDS*『FINDS Targets』を2018年秋より開始予定

シオノギが保有する世界トップクラスのプラットフォーム技術から、アカデミアで見出された病気の鍵分子に対する検証ツールを迅速に提供

アカデミア

病気の鍵分子と
評価系を提供いただく

⇒迅速な検証が可能に！



シオノギ

強み技術を使い特異的ツールを迅速に獲得・提供する

⇒創薬標的候補を獲得！

【シオノギ特異的ツール】

- 核酸 : 開発候補品を創出する合成力とDDS技術
- ペプチド : 国内製薬唯一のPDPS技術
- 抗体 : 独自の抗体ライブラリーによる迅速抗体作成技術

パートナーと真のWin-Winの関係を築く 新たな連携の形を提供する

CMC研究領域

CMC研究本部長 日裏 深雪

R&Dのビジョン

研究：社会に応える創薬イノベーション

CMC：Benefit for Allの製品開発

開発：効率的かつ着実な開発

アクション：

社会の希望を満たす製品価値の創製

- ・革新的なCMC研究/技術による
 - 安心できる最もよい薬の提供
 - 医療経済性の向上
 - 自社創薬の成功率向上



- **SGS2020の達成に向けて**
 - 新薬に対する社会的ニーズの変化
- **2017年度の成果**
 - CMC技術によるブレイクスルー
 - 開発後期品の申請・上市
- **2018年度の取り組み**
 - 2018年度の目標
 - さらなるCMC技術の進展～多彩な外部連携

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 新薬に対する社会的ニーズの変化
- **2017年度の成果**
 - CMC技術によるブレイクスルー
 - 開発後期品の申請・上市
- **2018年度の取り組み**
 - 2018年度の目標
 - さらなるCMC技術の進展～多彩な外部連携

- 患者さまに納得していただける新薬の継続的な創製
- 期待に応え、社会とともに成長し続けるために
 - 社会の希望を満たす製品価値の創製

安心できる 最もよい薬 の提供

高品質でニーズを満たす
高価値の製品創製

全ての人に
安心と信頼を提供

医療経済性 の向上

CoGs*低減と
スリムで先見的な
開発の実現

納得感のある
コストパフォーマンスの実現

自社創薬の 成功率向上

創薬/開発初期
からのCMC研究の貢献

創薬研究への
新ソリューション提供

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 新薬に対する社会的ニーズの変化
- **2017年度の成果**
 - CMC技術によるブレイクスルー
 - 開発後期品の申請・上市
- **2018年度の取り組み**
 - 2018年度の目標
 - さらなるCMC技術の進展～多彩な外部連携

化合物の価値最大化

これまでのNTE*創薬: 広範な疾患領域・品目をターゲット



更なる進化を目指して

CMC技術による創薬と自社品に絞った戦略的LCM

創薬研究

ニーズを満たす高付加価値の追求とイノベーティブで高度なCMC技術の適用によるRSC/S付番

➔ 2020年までのRSC/S付番数 \geq 4 品目

外部連携も含めた次世代型創薬に必要な画期的CMC技術の獲得

➔ 2020年までの新技術獲得数 \geq 3件

LCM展開

NTE創薬・開発で培った技術基盤によるLCMの強化

➔ 2020年までのRSC/S付番数 \geq 2 品目

CMCのコアコンピタンスを強みにバリューチェーン境界域での連携強化

開発後期品の確実かつ迅速な申請・上市

セフィデロコル

米国申請

ゾフルーザ™

工業化技術の確立
日本申請
新剤形の検討

小児ADHD治療薬
(インチュニブ®、
リスデキサンフェタミン)

上市に向けた準備の完了

グローバルレギュレーション対応力による確実な開発・トラブルのゼロ化

- 徹底したリスクアセスメントによる確実な開発
- 各当局とのコミュニケーション最適化(Best Practice for Communication)による申請・承認プロセスの迅速化

恒常的なCOGs改善努力と関連するCMC技術の獲得・拡大

2017年度の成果 (1)



- CMC技術力によるブレークスルー
 - **原薬製造におけるCoGs*低減**
～低分子化合物の製造技術～
 - **中分子製造の生産性向上**
～中分子化合物の製造技術～
 - **薬物吸収挙動の制御**
～*in silico*吸収予測システム（自社技術）～
 - **PharmaINのPGC™技術の導入**
～製剤中の薬物安定化及び徐放化～
 - **ピレスパ吸入製剤の薬物送達技術（自社技術）**

合成法検討のむずかしさ

安価な原料・短い工程が望ましいが、**反応・操作の困難さ**で実施できないことがある

高額な原料

原薬

安価な原料

原薬

積極的な技術の取り入れによる解決

安価な原料

Missing Link

高額な原料

従来の
コスト高な
合成法

原薬

PhotoRedox反応*を利用し、
合成法確立に成功、工業化検討実施中

原料コストを**50%削減**
反応数の削減も達成



フロー合成機での
PhotoRedox反応

新しい技術の積極的活用により
大幅なコスト削減を可能に

中分子製造の生産性向上～中分子化合物の製造技術～

中分子の製造と課題

中分子医薬品

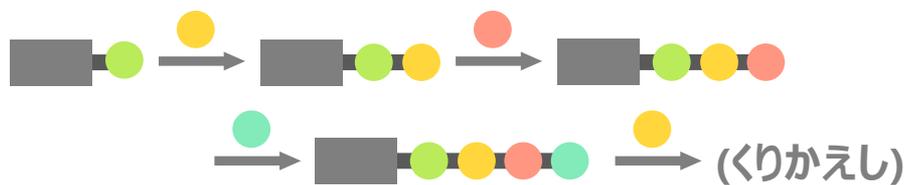
ペプチド・核酸など低分子と抗体の間の分子量を有するターゲット

中分子製造技術の課題

収率、コスト、環境負荷、品質、生産性

ペプチド固相合成法の低生産性

担体にアミノ酸を1つずつ結合させるため、1回ごとに時間がかかる上に反応回数が多い
 → 一般に生産性が低い



マイクロウェーブ(MW)照射による反応の加速

がんペプチドワクチン (S-288301)

反応にかかる時間 (プラスコスケールでの実績)

MW無

反応時間合計 40時間

MW有

同等の品質で1時間

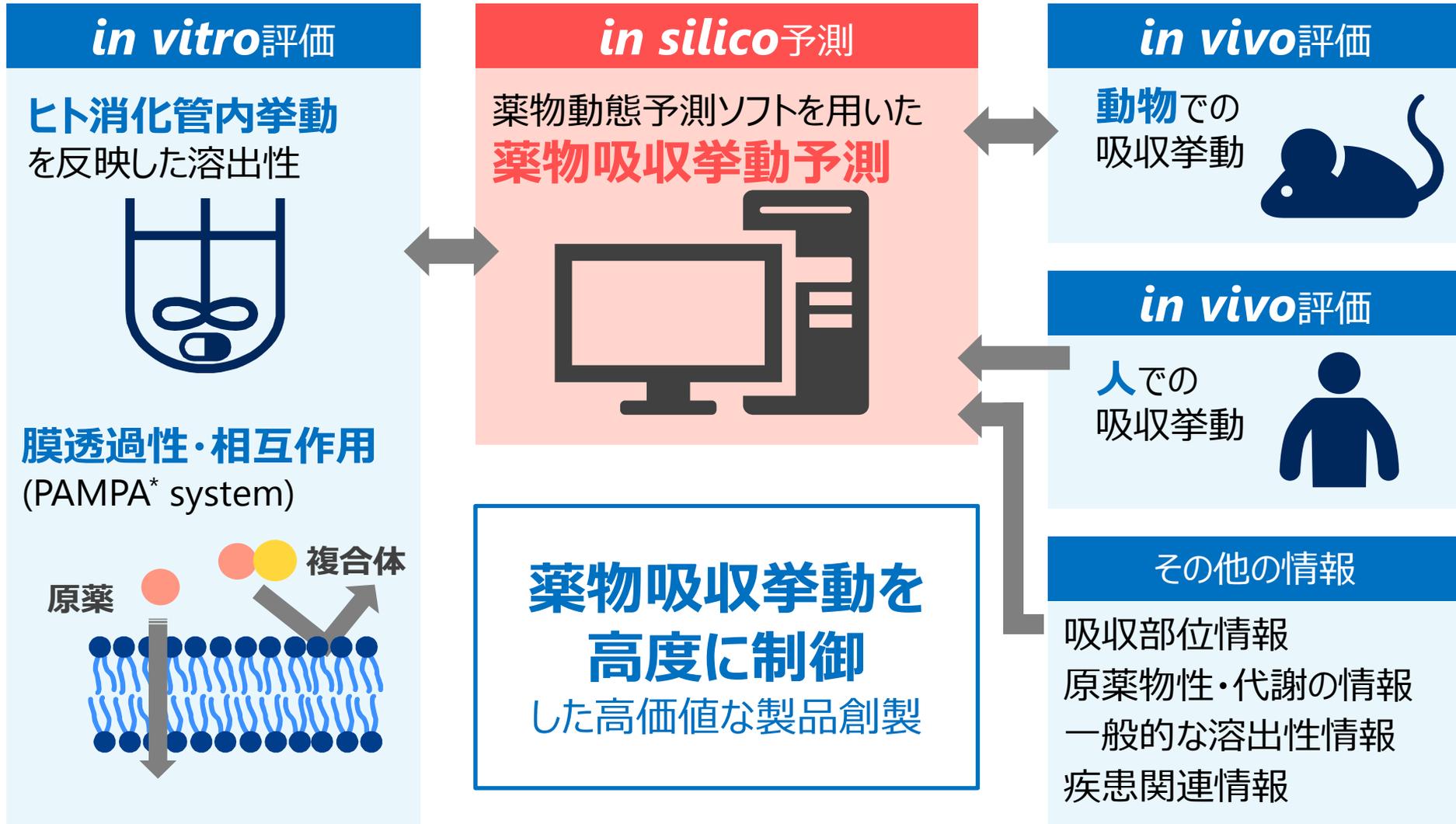
MWを照射することで1回ごとの反応が加速

40時間かかる反応が**1時間**に短縮

新規技術の適用により

生産性向上の見込み

薬物吸収挙動の制御 ~in silico吸収予測システム (自社技術)~



PharmaINのPGC™技術の導入～製剤中の薬物安定化及び徐放化～



PGC™*による薬物動態最適化の原理



PGC™は各部分がチューニング可能

原薬結合部位の最適化



放出速度

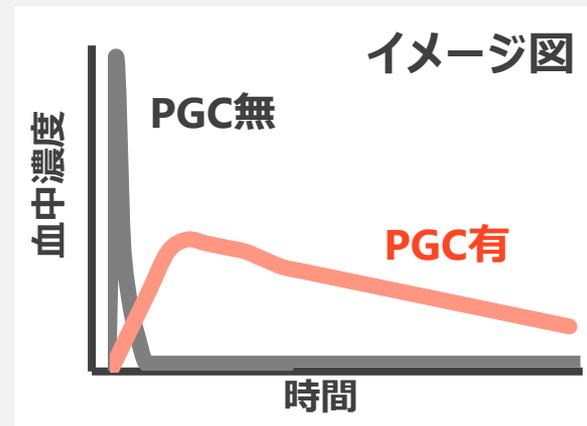
保護ポリマーの最適化



安定化度

PGC™の適用例

皮下で酵素分解を受ける薬物の場合



PGC無：短期間に体内から消失

PGC有：酵素分解の抑制と徐放化により血中濃度を長期間維持

PharmaINとの連携によるPGC™で
薬物動態の最適化が可能

ピレスパ吸入製剤の薬物送達技術（自社技術）



特許
出願中

吸入製剤化の目的と課題

ピレスパ錠（経口）

全身暴露による
副作用



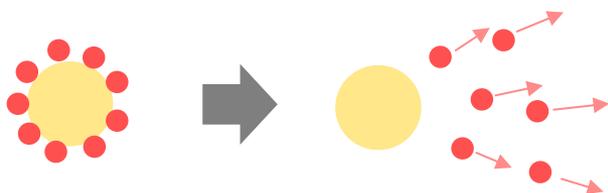
吸入製剤化

患部（肺）への直
接送達により副
作用を低減

複合体キャリアを用い肺に届けたいが・・・

1. 微細化が困難
2. 送達すべき原薬量が多い

複合体キャリア技術

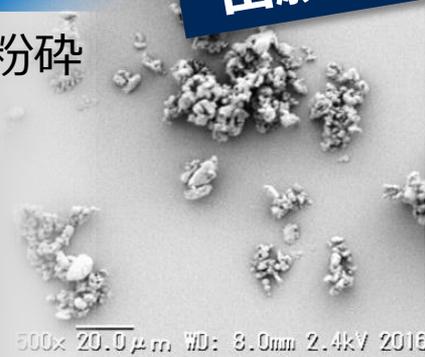


● 微細化原薬

● キャリア担体

1 肺への原薬送達

- 原薬と微量の脂質の混合粉碎
→ **微細化**を達成
肺に到達可能なサイズに
- 吸入器をメーカーと
共同開発中

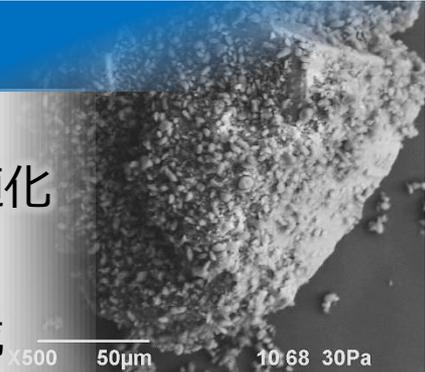


2 原薬高濃度化

- 適切な担体の選定
- 複合体キャリア形成の最適化



原薬高濃度化を達成



複合体キャリア技術による副作用低減のLCM
ピレスパの吸入製剤化を達成

• 開発後期品の申請・上市

– ソフルーザ™

> 先駆け審査指定制度下 国内申請完了 (10/25)、承認 (2/23)、
上市 (3/14)

> 米国申請準備、小児顆粒製剤の検討完了

– セフィデロコル

> Phase III 対応、米国申請準備

– 小児ADHD治療薬

> インチュニブ® 国内承認、上市

> リスデキサンフェタミン 国内申請完了

– ナルデメジン

> 日米上市

> 欧州申請完了・上市準備

– オキシコンチン®TR 錠

> 国内承認、上市

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 新薬に対する社会的ニーズの変化
- **2017年度の成果**
 - CMC技術によるブレイクスルー
 - 開発後期品の申請・上市
- **2018年度の取り組み**
 - 2018年度の目標
 - さらなるCMC技術の進展～多彩な外部連携

化合物の価値最大化

CMC技術による創薬と戦略的LCM

創薬研究

ニーズを満たす高付加価値の追求とイノベティブで高度なCMC技術の適用による開発候補品の創製

→ **2020年までの前臨床開始数 ≥ 4 品目**

2017年度: 0品目 **2018年度目標: 2品目**

外部連携も含めた次世代型創薬に必要な画期的CMC技術の獲得

→ **2020年までの新技術獲得数 ≥ 3 件**

2017年度: 2件 **2018年度目標: 1件**

LCM展開

CMC技術基盤によるLCMへの展開

→ **2020年までの前臨床開始数 ≥ 2 品目**

2017年度: 1品目 **2018年度目標: 1品目**

CMCのコアコンピタンスを強みにバリューチェーン境界域での連携強化

開発後期品の確実かつ迅速な申請・上市

ゾフルーザ™	米国申請、上市に向けた準備完了 小児顆粒製剤の国内申請
リスデキサンフェタミン	日本承認、上市
Rizmoic® (ナルデメジン)	欧州上市に向けた準備完了
Mulpleta®	米国上市に向けた準備完了
セフィデロコル	米国申請に向けた準備完了

CMCレギュレーション対応力の強化による確実な開発・迅速な申請・承認

- 徹底したリスクアセスメント
- 薬事機能強化による当局とのコミュニケーション最適化

多彩な外部連携 ～CMC技術の進展～



大学・研究所等の
複数のアカデミアとの協業



PGC™プラットフォーム技術を持つ
ベンチャー企業との共同研究



革新的な特殊ペプチド原薬
製造受託合併会社の設立



感染症予防ワクチンの独自技術
を持つ会社との資本業務提携



一般財団法人 阪大微生物病研究会

A2型ボツリヌス毒素を含有する
バイオ医薬品の製造技術開発

開発領域

医薬開発本部長 畑中 一浩

R&Dのビジョン

研究：社会に応える創薬イノベーション

CMC：Benefit for Allの製品開発

開発：効率的かつ着実な開発

アクション：

- 環境変化に柔軟に対応できる開発体制を確立
- 開発パッケージの縮小や臨床試験のスリム化によるコスト削減



- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ゾフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ソフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

達成目標

開発期中の導出品目、現販売品目を含め
10品目以上の製品をグローバル市場に提供している

現在
3品目



目標達成のためには、生産性のさらなる向上が必須

- 戦略意思決定機能のさらなる向上と効率化
- 3極を超えてグローバル開発を迅速、高品質かつ効率的に実行していくためのさらなる体制整備

効率的かつ着実な開発

グローバルに開発品を提供し続けるために

- **グローバルオペレーション体制**
 - ポートフォリオレベルおよび各試験レベルにおけるグローバル試験実施・管理体制の見直し
 - ITシステムの整備による試験管理の効率化
- **コストマネジメント**
 - 臨床試験のFeasibilityを精査し、試験費用をより適性化
- **医師主導治験の活用**

申請：5品目(6適応)

承認：2品目

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ゾフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

グローバルに開発品を提供し続けるために

グローバルオペレーション体制

One Global SHIONOGI

- ✓ 基本方針・目的の共有/意思の統一
- ✓ Role & Responsibilityの統一/手順の統一

グローバル試験へのリソース集中

- ✓ グローバル試験関与者倍増

コストマネジメント

開発品目の選択と集中

- ✓ ソフルーザ™、セフィデロコル、ADHD

業務改革・改善

- ✓ モニタリング手法の転換：
Risk-Based Monitoring ,eTMF*国内実装
- ✓ モニタリング専従者の削減
- ✓ 人工知能とビッグデータの活用

医師主導臨床試験の活用

申請成果：4品目・6適用

(目標：5品目6適用)

- リスデキサメフェタミン (小児)
- ソフルーザ™ (成人：日本)
- ソフルーザ™ (小児:日本)
- Mulpleta® (米国)
- Mulpleta® (欧州)
- Osphena® (膣乾燥：米国2018年3月申請予定)

承認成果：4品目

(目標：2品目)

- オキシコンチン®TR(がん疼痛 (乱用防止製剤))
- アシテア®(ダニ抗原による小児通年性アレルギー性鼻炎)
- ソフルーザ™ (成人)
- ソフルーザ™ (小児)

2017年度の成果：承認・申請



開発品(適応疾患)	Phase I	Phase II	Phase III	申請	承認
オキシコンチン®TR* (がん疼痛 (乱用防止製剤))				日本 (2016.11)	日本 (2017.8)
アシテア®(ダニ抗原による小児 通年性アレルギー性鼻炎)				日本 (2017.3)	日本 (2018.2)
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症)			グローバル	日本 (2017.10)	日本 (2018.2)
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症 (小児))			日本	日本 (2017.10)	日本 (2018.2)
Mulpleta® (血小板減少症)			グローバル	米国(2017.12) 欧州(2018.1)	
セフィデロコル (多剤耐性グラム陰性菌感染症)			グローバル： 継続中	米国 来年度予定	
リスデキサメフェタミン (小児ADHD)			日本	日本 (2017.4)	
オスフィーナ®(閉経後膣萎縮症に伴う 膣乾燥感)**			米国	米国 (2018.3)予定	

2017年度の成果 : Phase I ~ III



開発品(適応疾患)	Phase I	Phase II	Phase III	申請	承認
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症 (顆粒剤))			日本 : 開始		
サインバルタ® (うつ病・うつ状態 (小児))			日本 : 開始		
インチュニブ® (成人ADHD)			日本 : 検証 試験完了		
S-588410 (食道がん)			日本 : 症例 登録完了		
S-600918 (神経障害性疼痛)	日本 : 完了	地域未定 : 開始			
S-770108 (特発性肺線維症)	日本 : 開始				
S-637880 (神経障害性疼痛)	日本 : 開始				

ゾフルーザ™ インフルエンザウイルス感染症

プロフィール：ゾフルーザ™



適応疾患	インフルエンザウイルス感染症
作用機序	Capエンドヌクレアーゼ阻害(新規作用メカニズム)
製品特性	<ul style="list-style-type: none">✓ 1回のみでの内服にて治療完結✓ A型、B型、高病原性鳥インフルエンザウイルスへの高い抗ウイルス効果✓ 高い安全性、忍容性
開発ステージ	<ul style="list-style-type: none">✓ 日本：2018年2月 承認取得 (成人および小児)✓ 米国：申請準備中
今後の予定	<ul style="list-style-type: none">✓ 日本：発売開始 (2018年3月)、顆粒剤の承認申請、 予防適応を目指した試験の開始✓ 米国：2018年申請

2018年2月23日 先駆け審査指定品目として初の承認取得

「シオノギ」による グローバル開発推進

- シオノギ主導でグローバル Phase III試験を実施、成功
- 最優先品目として積極的に経営資源を投下した結果、極限のスピードで開発実施
- **Phase I開始から約3年での上市**
⇒ **良好なデータを受け、Roche社との連携強化へ**

「国」による 早期承認・緊急収載

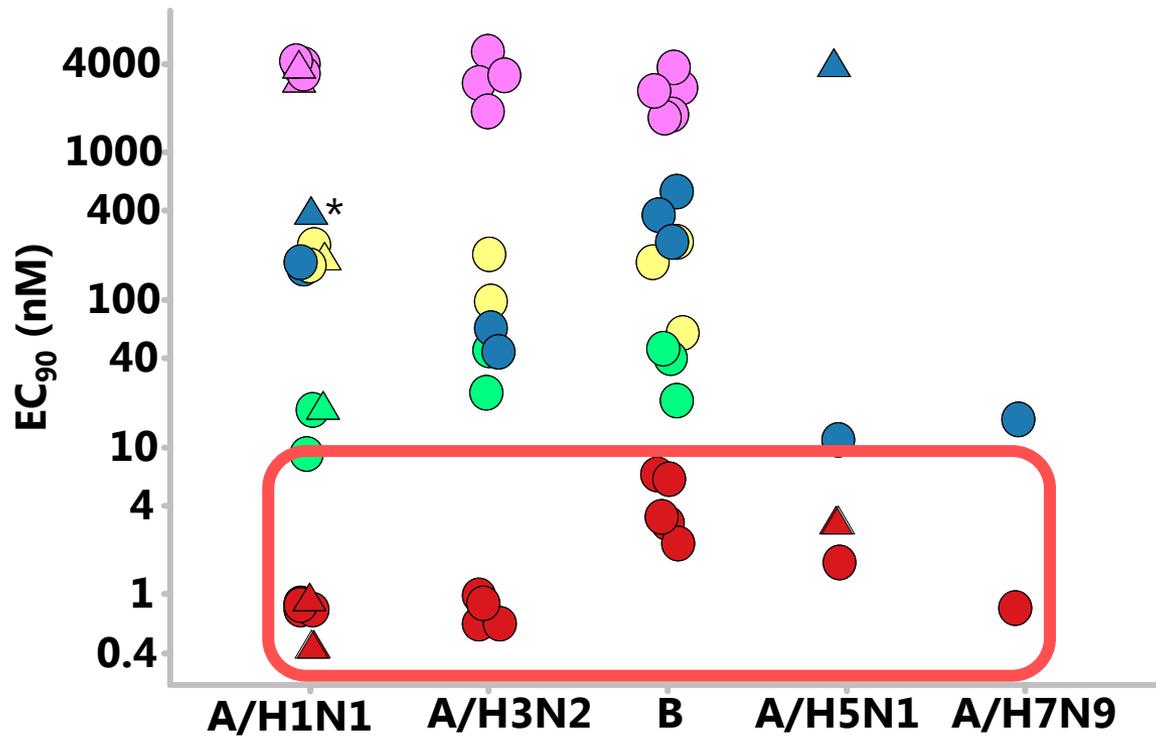
- **新規メカニズムの治療薬として、先駆け審査指定**
 - ノイラミニダーゼ阻害薬耐性ウイルス、強毒性ウイルスの出現
 - 2017年10月25日：申請
2018年2月23日：承認
2018年3月14日：薬価収載
- ⇒ **約4ヶ月の審査期間で承認**

社会から必要とされる医薬品を迅速に提供

オセルタミビル耐性ウイルスや鳥インフルエンザウイルスに対する抗ウイルス作用 (*in vitro*)



培養細胞への感染による細胞変性効果を指標とした抗ウイルス効果



Color by compound

- ゾフルーザ™活性体
- Oseltamivir acid
- Zanamivir hydrate
- Laninamivir
- Favipiravir

- 野生型 (オセルタミビル感受性)
- ▲ オセルタミビル耐性 (H274Y)

Viral strains tested

- A/WSN/33
- A/WSN/33-NA/H274Y
- A/PR/8/34
- A/Kadoma/3/2006
- A/Osaka/129/2009
- A/Osaka/180/2009-NA/H274Y

- A/Victoria/3/75
- A/Hong Kong/8/68
- A/Niigata/12F392/2013
- A/Hokkaido/12H048/2013

- B/Lee/40
- B/Hong Kong/5/72
- B/Maryland/1/59
- B/Gunma/12G045/2013
- B/Hokkaido/11H011/2012

- A/H5N1 A/Hong Kong/483/97
- A/Hong Kong/483/97-NA/H274Y

- A/H7N9 A/Anhui/1/2013

季節性インフルエンザウイルスのみならず、オセルタミビル耐性ウイルス (H274Y) や鳥インフルエンザウイルス (H5N1、H7N9) に対しても、既存薬より強い抗ウイルス活性を有する

*>400nM

・ 顆粒剤の投入

2020年度以降

2019年度

2018年度

- ・ 米国申請
- ・ ハイリスク患者でのエビデンス構築
- ・ 予防適応を目指した試験の実施

- ・ 重症患者でのエビデンス構築
- ・ NA*阻害剤との併用効果確立
- ・ 伝播抑制のエビデンス構築

単回経口投与の利便性、確実なアドヒアランス、
強力な抗ウイルス効果を活かした適応拡大、エビデンス構築を推進

セフィデロコル

多剤耐性グラム陰性菌感染症

プロフィール：セフィデロコル



適応疾患	多剤耐性グラム陰性菌感染症
作用機序	細胞壁合成阻害
製品特性	<ul style="list-style-type: none">✓ 注射用セファロスポリン系抗生物質✓ 多剤耐性菌を含むグラム陰性菌全般
開発ステージ	<ul style="list-style-type: none">✓ APEKS*-cUTI** : Phase II 複雑性尿路感染症に対する試験(Global)(完了)✓ CREDIBLE-CR*** : Phase III カルバペナム耐性菌感染症に対する試験(Global)✓ APEKS-NP**** : Phase III 院内肺炎・人工呼吸器関連肺炎に対する試験(Global)
今後の予定	2018年度下期 米国申請(QIDP***** 指定品目)

WHO及びCDCの重要菌種リスト



Bacteria (WHO category)	WHO (2017)	CDC (2013)
<i>Acinetobacter baumannii</i> , carbapenem-R	Critical	Serious (MDR)
<i>Pseudomonas aeruginosa</i> , carbapenem-R	Critical	Serious (MDR)
<i>Enterobacteriaceae</i> , carbapenem-R, 3 rd -gen ceph-R (ESBL+)	Critical	Urgent (carbapenem-R) Serious (ESBL+)
<i>Enterococcus faecium</i> , vancomycin-R	High	Serious (VRE)
<i>Staphylococcus aureus</i> , methicillin-R, vancomycin-I/R	High	Serious (MRSA) Concerning (VRSA)
<i>Helicobacter pylori</i> , clarithromycin-R	High	
<i>Campylobacter</i> spp., fluoroquinolone-R	High	Serious (drug-R)
<i>Salmonellae</i> spp., fluoroquinolone-R	High	Serious (drug-R)
<i>Neisseria gonorrhoeae</i> , 3 rd -gen ceph-R, fluoroquinolone-R	High	Urgent (drug-R)
<i>Streptococcus pneumoniae</i> , penicillin-NS	Medium	Serious (drug-R)
<i>Haemophilus influenzae</i> , ampicillin-R	Medium	
<i>Shigella</i> spp., fluoroquinolone-R	Medium	Serious
<i>Clostridium difficile</i>		Urgent

WHOがPriorityと定める3菌種への活性

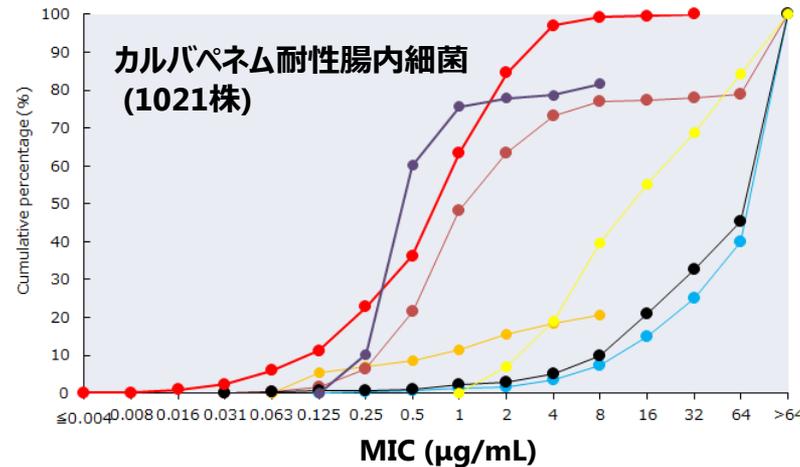
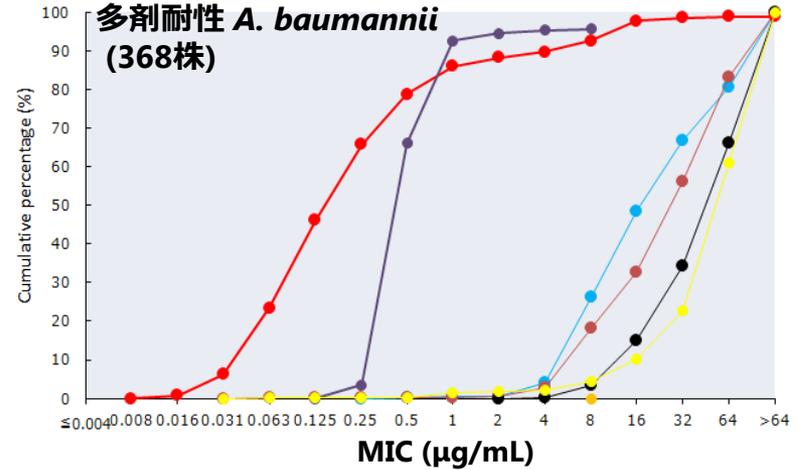
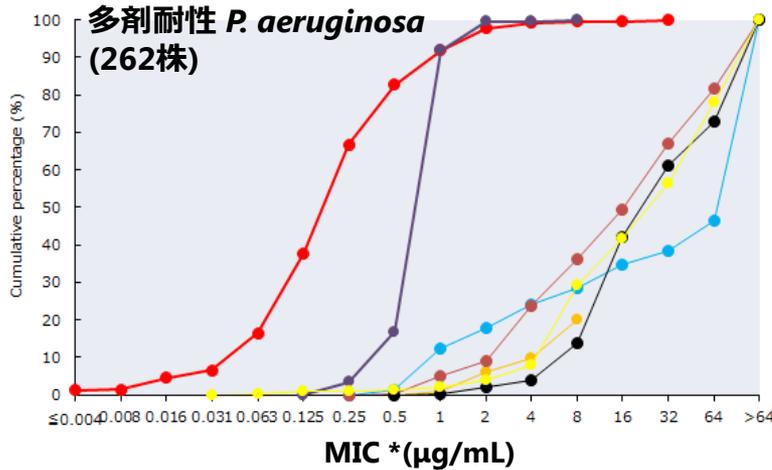


Name (synonym)	Antibiotic class	Route of Administration (Developer)	Expected activity against priority pathogens			
			CRAB	CRPA	CRE	OPP
Vaborbactam + meropenem (Carbavance)	Boronate BLI + carbapenem	IV (The Medicines Co)	■	■	■ ^b	
Cefiderocol	Siderophore-cephalosporin	IV (Shionogi)	■	■	■	
Relebactam + imipenem/ cilastatin	DBO-BLI + carbapenem/ degradation inhibitor	IV (Merck & Co)	■	■	■ ^b	
Sulopenem	Carbapenem	IV & oral (Iterum)	■	■	■	■ ^c
Plazomicin	Aminoglycoside	IV (Achaogen)	■	■	■	
Lascufloxacin	Fluoroquinolone	IV & oral (Kyorin)	■	■	■	■
Eravacycline	Tetracycline	IV & oral (Tetraphase)	■	■	■	

Pathogen activity: ■ active, ■ possibly active, ■ not or insufficiently active.

CRAB: CR *Acinetobacter baumannii*, CRPA: CR *Pseudomonas aeruginosa*, CRE: CR *Enterobacteriaceae*, OPP: Other Prioritized pathogen

耐性グラム陰性菌に対するセフィデロコルの抗菌活性 (SIDERO-CR-2014/2016)



- Cefiderocol
- Cefepime
- Ceftazidime-avibactam
- Ceftolozane-tazobactam
- Ciprofloxacin
- Colistin
- Meropenem

セフィデロコルは、カルバペネム耐性グラム陰性菌に対して強力な抗菌活性を示す

多剤耐性菌（AMR）による感染症の拡大

- **多剤耐性菌感染による2050年の影響予測**
 - 死亡者数は世界で1000万人、GDPに対する影響は100兆ドル*
- **優先して対処すべき菌種の多くは、カルバペネム系抗菌薬に対する耐性菌であり、それらに対応できる薬剤が求められている**
 - ⇒ **セフィデロコルはAMRに対応できる貴重な薬剤**
- **米国ではカルバペネム系抗菌薬に対する耐性菌の大部分（8割以上）が非ブドウ糖発酵菌（アシネトバクター、緑膿菌）である****
 - ⇒ **セフィデロコルはカルバペネム耐性非ブドウ糖発酵菌（アシネトバクター、緑膿菌）に対応できる貴重な薬剤**

米国における最近の競合の動き

- **多剤耐性グラム陰性菌感染症に対する薬剤の中に、カルバペネム耐性グラム陰性菌感染症に対するデータを発表した後に、FDAより承認あるいは申請受理をされた薬剤が出てきている。（ただし、ターゲット起炎菌はCREであり、非ブドウ糖発酵菌（アシネトバクター、緑膿菌）に対する活性はない）**

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ソフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

S-600918

ref. p111マップ

神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽

S-770108

ref. p111マップ

特発性肺線維症治療薬

優先品目については、P109～P111のマップも併せてご覧ください

S-600918
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽

ref. p111マップ°

プロフィール：S-600918



適応疾患	神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽 他
作用機序	未公表（新規メカニズム）
製品特性	✓ 1日1回の内服 ✓ 高い安全性、忍容性
開発ステージ	日本: Phase I 完了
今後の予定	日本：2018年度 Proof of concept 試験開始

**神経障害性疼痛、難治性慢性咳嗽をはじめとする
神経感作が原因となる疾患への展開**

個人が生き生きとした社会創り

2016年10月31日SGS2020updateより

疼痛・神経



社会課題の解決

難治性
慢性咳嗽

- 8週間以上続く咳
- 咳喘息、副鼻腔気管支症候群、GERD*等が主な原因
- 原疾患に対する治療後も咳症状が残存

- 難治性慢性咳嗽に対する承認薬剤はない
- 中枢性鎮咳薬の長期投与は推奨されない

難治性慢性咳嗽、神経障害性疼痛に対する新たな治療の
選択肢を提供し、長期化する咳や疼痛に悩まされず、
個人が生き生きとした社会創りへの貢献

S-770108
特発性肺線維症治療薬

ref. p111マップ^o

プロフィール：S-770108 (ピルフェニドン吸入製剤)



適応疾患	特発性肺線維症
作用機序	抗線維化作用
製品特性	<ul style="list-style-type: none">✓ ドライパウダー吸入製剤 (利便性が高い)✓ 本剤の特性にあわせた専用の吸入デバイス✓ 高い安全性・忍容性
開発ステージ	日本：Phase I 試験実施中
今後の予定	標識体を用いて肺分布を検討する試験を計画中

経口ピルフェニドン (ピレスパ[®]、Esbriet[®])

- 国際ガイドライン*における特発性肺線維症に対する推奨治療薬
- 忍容性・安全性に課題
 - 消化器症状 (食欲減退、悪心)、光線過敏症などの副作用による増量困難 (60%)、治療からの脱落 (20%/年)**



吸入ピルフェニドン (S-770108)

- 全身暴露量を大幅に低減することで、経口投与の副作用から脱却
 - 服薬コンプライアンスを高め、治療の継続を可能とする
 - 直接肺患部に投与することで効果増強の可能性

従来は副作用のために十分治療ができなかった、特発性肺線維症の患者さまへより安全な治療を提供する

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ソフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

S-005151

表皮水疱症、脑梗塞

プロフィール：S-005151



適応疾患	表皮水疱症、脳梗塞
作用機序	間葉系幹細胞を末梢血に動員
製品特性	<ul style="list-style-type: none">✓ 点滴静注✓ 間葉系幹細胞による抗炎症・再生誘導
開発ステージ	<ul style="list-style-type: none">✓ 表皮水疱症：Phase II（医師主導治験）✓ 脳梗塞：Phase I 準備中
今後の予定	脳梗塞：2018年度上期 Phase I 開始

S-005151の開発を通じた社会への貢献



個人が生き生きとした社会創り

2016年10月31日SGS2020updateより

疼痛・神経



社会課題の解決

中分子ペプチドS-005151の組織再生誘導は、再生医療と同等の
治療効果が期待され、イノベーションと医療経済性を両立可能

- 脳梗塞を含む脳血管疾患(要介護となる原因の第1位*)の日本での総患者数は100万人超、年間医療費は1兆7,000万円超
- 脳梗塞治療のt-PA投与・血管内治療は実施率が低く (0.9-6%) **、治療満足度 (60%)***も改善の余地がある



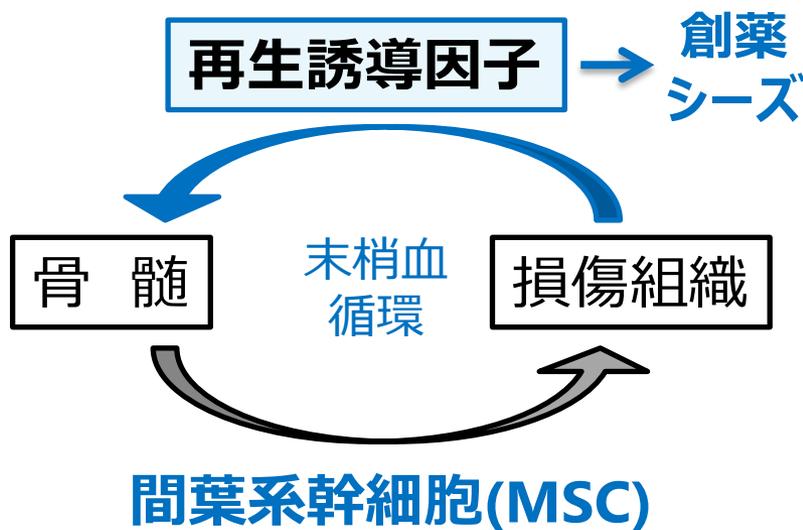
本剤の開発を通じ、脳梗塞の多くの患者さまの一日でも早い
社会復帰の手助けを行い、個人が生き生きとした社会創りに貢献

新規脳梗塞治療薬S-005151の作用機序

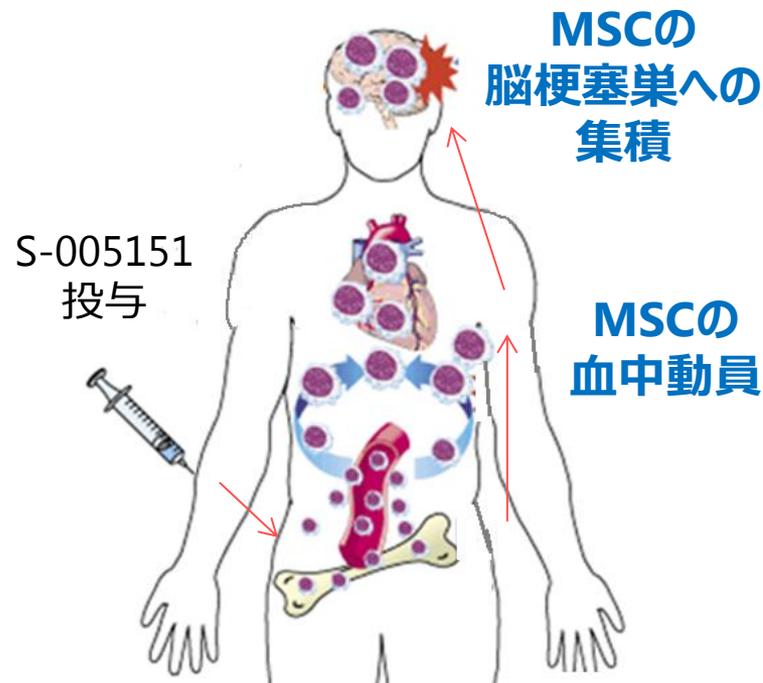


組織再生促進メカニズム

アカデミアとベンチャーの共同研究から
見出された生体内自己再生メカニズム

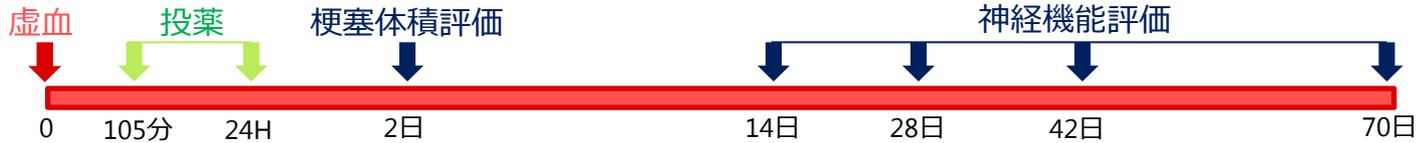


S-005151の想定作用

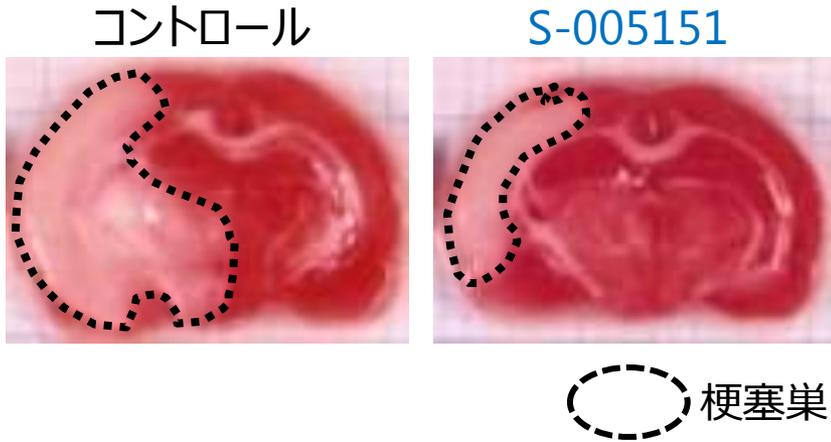


大阪大学発ベンチャー由来のシーズから脳梗塞を対象とした
再生誘導ペプチド医薬開発品を創製

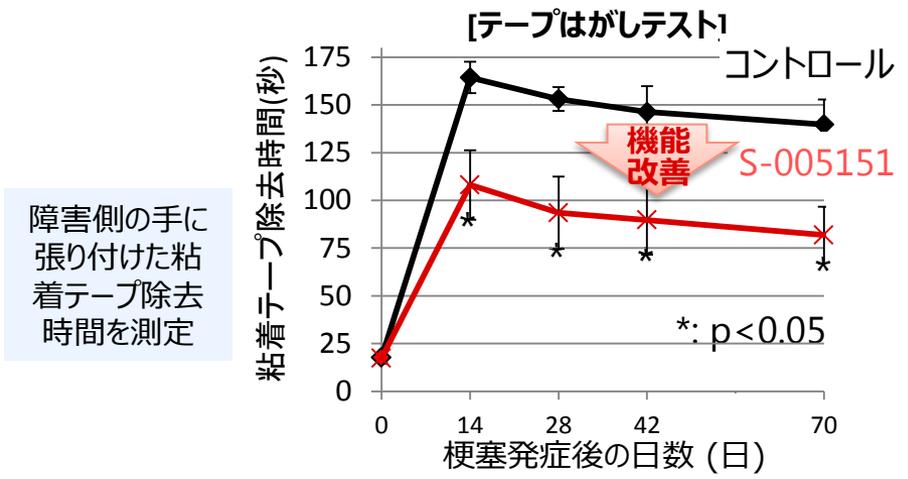
非臨床試験におけるS-005151の薬理効果



脳保護 梗塞巣の縮小



神経機能改善 感覚運動機能の回復



脳梗塞発症後の投与により、
脳保護作用および神経機能改善作用を示す
⇒ 2018年度上期Phase I開始

- **SGS2020の達成に向けて**
 - 2020年度までの開発目標
 - 2017年度の目標
- **2017年度の成果**
 - 現状の取り組みと成果
 - パイプライン
 - 主要な開発品目
 - > 感染症領域
 - = ソフルーザ™
 - = セフィデロコル
- **2018年度の最優先品目**
 - **S-600918**
神経障害性疼痛・難治性慢性咳嗽
 - **S-770108**
ピルフェニドン吸入製剤（特発性肺線維症治療薬）
- **その他の品目**
 - S-005151
表皮水疱症、脳梗塞
- **2018年度の目標**

2017年度の課題

試験実施計画の精度

海外試験の進捗

増加する外部委託費用

- **環境変化に柔軟に対応できる開発体制を確立**
 - グローバルでの臨床試験の一元管理・監督体制
 - 蓄積されたデータに基づいたスピーディな意思決定
- **開発パッケージの縮小や臨床試験のスリム化によるコスト削減**
 - 予見力・計画力の向上
 - フィージビリティ調査の確実性向上

申請：3品目(4適応)

承認：3品目

2018年度の予定：承認・申請



開発品(適応疾患)	Phase I	Phase II	Phase III	申請	承認
Mulpleta® (血小板減少症)				米国 (2017.12) 欧州 (2018.1)	米国
Rizmoic® (オピオイド誘発性の便秘症)				欧州 (2017.3)	欧州
リスデキサメフェタミン (小児ADHD)				日本 (2017.4)	日本
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症)			グローバル： 継続中	米国	
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症 (顆粒剤))			日本： 継続中	日本	
セフィデロコル (多剤耐性グラム陰性菌感染症)			グローバル： 継続中	米国	
インチュニブ® (成人ADHD)			日本： 継続投与試 験実施中	日本	

2018年度の予定：Phase I～III



開発品(適応疾患)	Phase I	Phase II	Phase III	申請	承認
ゾフルーザ™ (インフルエンザウイルス感染症 (予防投与))			アジア(日本・ 台湾)：開始		
オキシコンチン®TR (慢性疼痛における鎮痛)			日本：開始		
S-120083 (炎症性疼痛)		米国：完了			
S-588410 (膀胱がん)		日本・欧州： 完了			
S-600918 (神経障害性疼痛 or 難治性慢性咳嗽)		日本：開始			
S-770108 (特発性肺線維症)	日本：完了				
S-637880 (神経障害性疼痛)	日本：完了				
S-005151 (脳梗塞)	日本：開始				
S-004992 (結核)	アジア (中国)：開始				

2017年度～2020年度までの開発目標



2020年のあるべき姿

達成目標

開発期中の導出品目、現販売品目を含め

10品目以上の製品をグローバル市場に提供している

3極グローバル開発体制の確立

● One Global SHIONOGI

- ✓ 基本方針・目的の共有/意思の統一
- ✓ Role & Responsibilityの統一/手順の統一

迅速かつ的確な意思決定

- 戦略に基づく優先順位づけ
- ROI*に基づく効率的投資
- 科学に基づくGo/No Go

開発の効率化

- 開発パッケージの縮小
- 開発コスト低減への挑戦
- 開発期間の短縮

現在
3品目

2018年度
5品目

2020年度
10品目

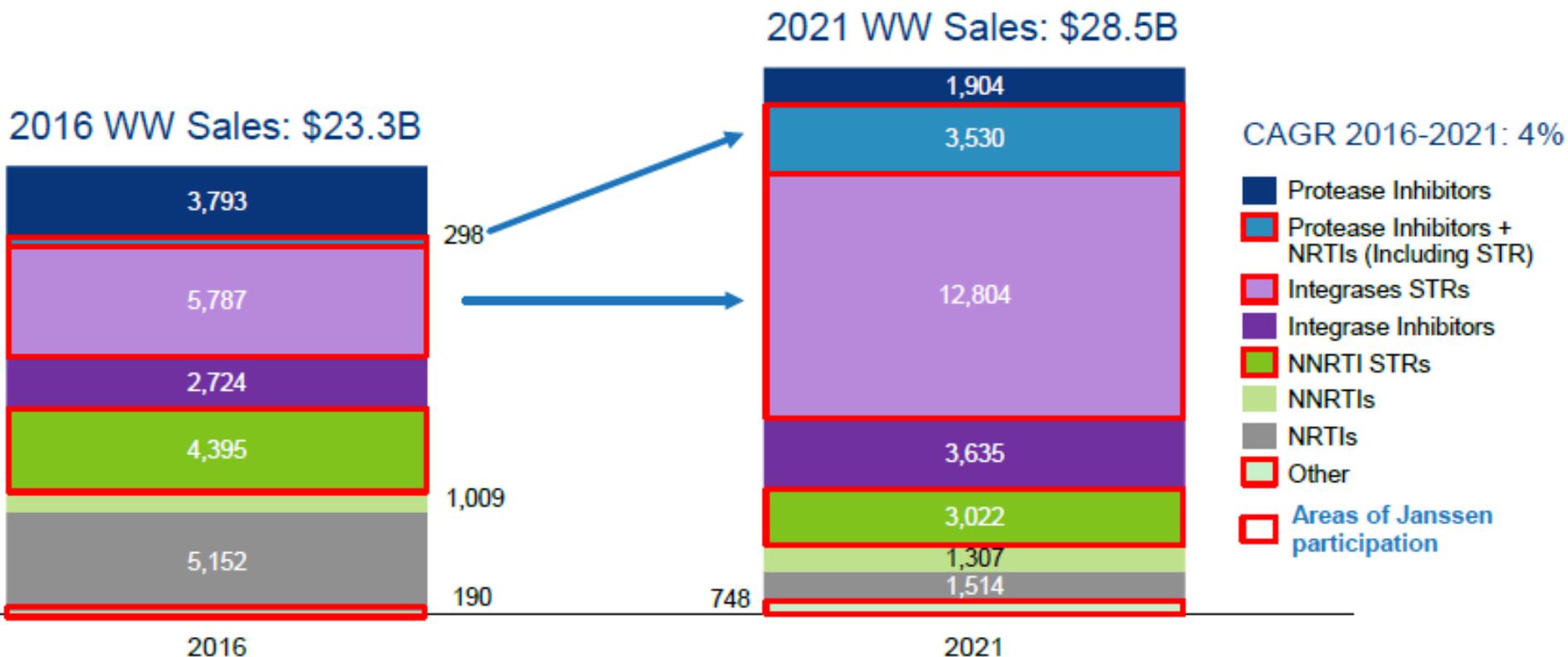
本日の総括

代表取締役社長 手代木 功

HIVフランチャイズの今後の取り組み

代表取締役社長 手代木 功

HIV市場の動向



EvaluatePharma, April, 2017

NRTI:核酸系逆転写酵素阻害薬 NNRTI:非核酸系逆転写酵素阻害薬
STR: Single tablet regimen (1日1回1錠の内服を可能にした治療法)

抗HIV治療の創薬戦略



1996 2000 2010 2020

死の病 治療可能な病 健康を回復、維持できる

多剤併用療法



キードラッグ
+ NRTI 2剤

薬剤の改良による
用量、用法の改良

STR

2剤維持療法
2剤療法

単剤療法

根治療法

抗HIV薬のニーズ

- ・ 健常人と同等のQOLを満たす
- ・ 予防
- ・ 根治

シオノギの抗HIV創薬

キードラッグ創出
Tivicay® (DTG)

現推奨療法
Triumeq®
(DTG/ABC/3TC)

注射薬創出
Cabotegravir (CAB) Phase III

抗HIV薬創薬戦略

- ・ DTGの合剤化パートナー創出
- ・ 注射薬の併用パートナー創出
- ・ 予防薬としてのプレゼンス確立

ドルテグラビルの積み重ねてきた信頼と実績



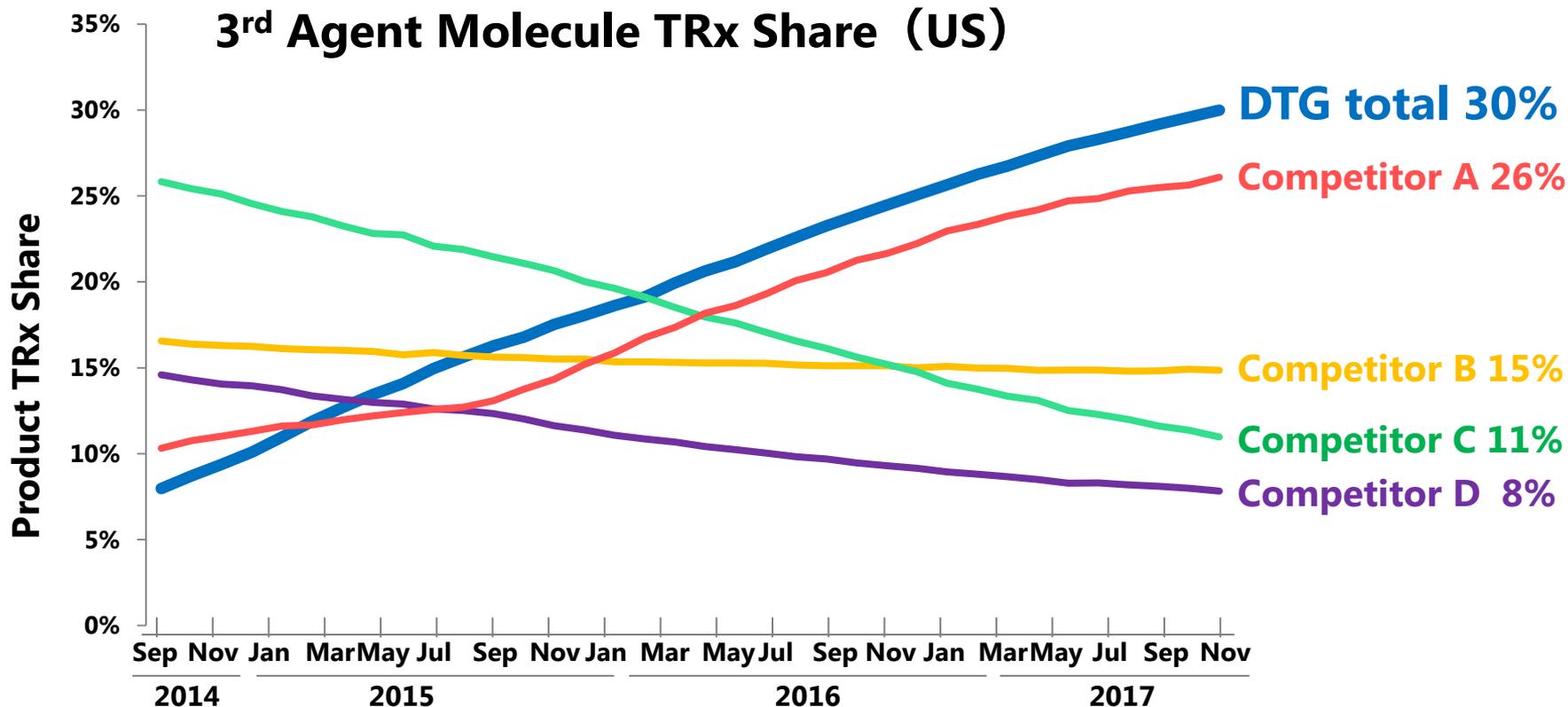
ドルテグラビル

- 世界でNo.1のキードラッグ
- 世界中で**50万人以上**の患者がドルテグラビルを基本とした治療を実施してきた
- 2013年のテビケイ®発売以降、臨床現場でドルテグラビルによる**耐性ウイルスは見られていない**
- 以下の5試験において幅広い患者層でのデータを集積し、かつ、いずれも対照薬に対して主要評価項目で**優越性**を示した

vs. efavirenz	vs. raltegravir	vs. darunavir	vs. atazanavir	vs. lopinavir
優越性 (治療経験無)	優越性 (治療経験有)	優越性 (治療経験無)	優越性 (女性治療経験無)	優越性 (治療経験有)
				

いずれの試験も優越性検証のための解析が事前に指定されている非劣性試験

米国における処方箋枚数の推移 (TRx シェア)



**ドルテグラビル (DTG) は、最大市場の米国において
ナンバーワンのキードラッグとしてHIV市場を牽引**

2剤療法

- イノベーティブな経口剤および持続性注射剤に基づく2剤療法のパイプラインが今後の成長を牽引していく
- **66%**の患者が服用する薬を減らすことを希望*
- **Juluca® (DTG/RPV)** : 2017年11月にFDAから承認、米国発売
 - DHHS/EACSガイドラインにおいても、維持療法における薬剤切り替えの際の選択肢として既に記載済
 - Tivicay®およびTriumeq®の販売成功から築き上げた強力なビジネス体制
- **DTG/3TC**
 - GEMINI試験のデータおよび承認申請は**2018年を予定**
- **CAB+RPV (持続性注射剤)**
 - Phase IIIデータは**2018年末を予定**

さらなる患者満足度向上のために



- **カボテグラビル** (Cabotegravir : CAB)

- インテグラーゼ阻害薬
 - 錠剤および筋肉内持続性注射剤
 - > 錠剤 : 30mg 錠、半減期* ~40時間
 - > 筋肉内注射剤 : 200mg/mL、半減期 20~40日
- ⇒ **抗HIV薬唯一の注射剤**

- **リルピビルン** (Rilpivirine : RPV)

- 非核酸系逆転写酵素阻害剤
- 錠剤および筋肉内持続性注射剤
 - > 錠剤 : 25mg 錠、半減期 ~50時間
 - > 筋肉内注射剤 : 300mg/mL、半減期 30~90日

⇒ **カボテグラビル + リルピビルン (持続性注射剤)**

- **高い利便性によるアドヒアランス改善への期待** : 1回/1カ月の筋肉内注射
 - > 2017年11月に1回/2ヶ月投与のPhase III試験を開始
- **2020年度に上市予定**

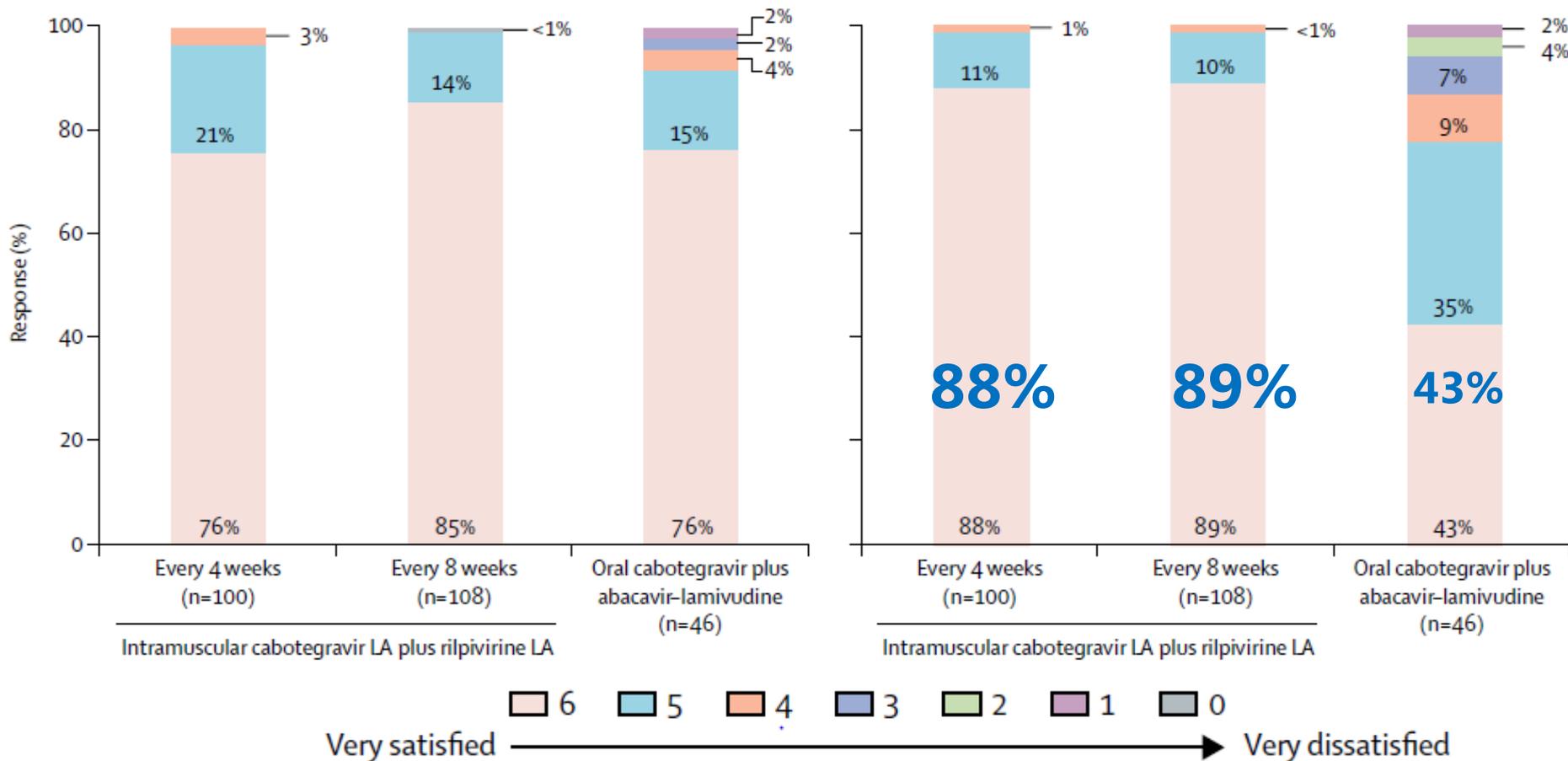


LATTE-2: 患者満足度 (96週時点)



治療にどれくらい満足していますか?

現在の治療をどれくらい継続したいですか?



・カボテグラビルの予防的投与における開発

CAB 臨床試験	試験デザイン等*
ECLAIR ・Phase IIa (N=127名)	・CAB 持続性注射剤 (12週に1回) vs プラセボ ・対象：HIV感染リスクの低い男性
HPTN 083 ・Phase IIb/III (N=4500例予定)	・CAB 持続性注射剤 (8週に1回) vs Truvada1日1回経口 ・対象：HIV感染リスクの高いMSM/TGW**
HPTN 084 ・Phase III (N=3200例予定)	・CAB 持続性注射剤 (8週に1回) vs Truvada1日1回経口 ・対象：18～45歳の女性

HIVフランチャイズの開発プラン（インテグラーゼ阻害剤）

2018	2019	2020	2020 +
			Future combinations
		CAB for HIV prevention 持続性注射剤 (Phase III data)	CAB for HIV prevention 持続性注射剤 (欧米申請、欧米承認)
CAB + RPV 持続性注射剤 (Phase III data)	CAB + RPV 持続性注射剤 (欧米申請、米国承認)	CAB + RPV 持続性注射剤 (欧州承認)	
DTG + 3TC (Phase III data) (欧米申請)	DTG + 3TC (欧米承認)		
DTG + RPV (欧州承認)			

ViiV社はインテグラーゼ阻害剤をベースドラッグとした新たな治療法の確立に向けて、開発活動を積極的に推進

本日の総括

代表取締役社長 手代木 功

研究開発における2017年度最重要の取り組み

- HIVフランチャイズに続く成長ドライバーのゾフルーザ™に研究開発資源を集中させ、開発を最大限に加速
 - 日本：2018年3月14日薬価収載、上市
 - 米国申請および今後の開発：ロシュ社へバトンタッチ



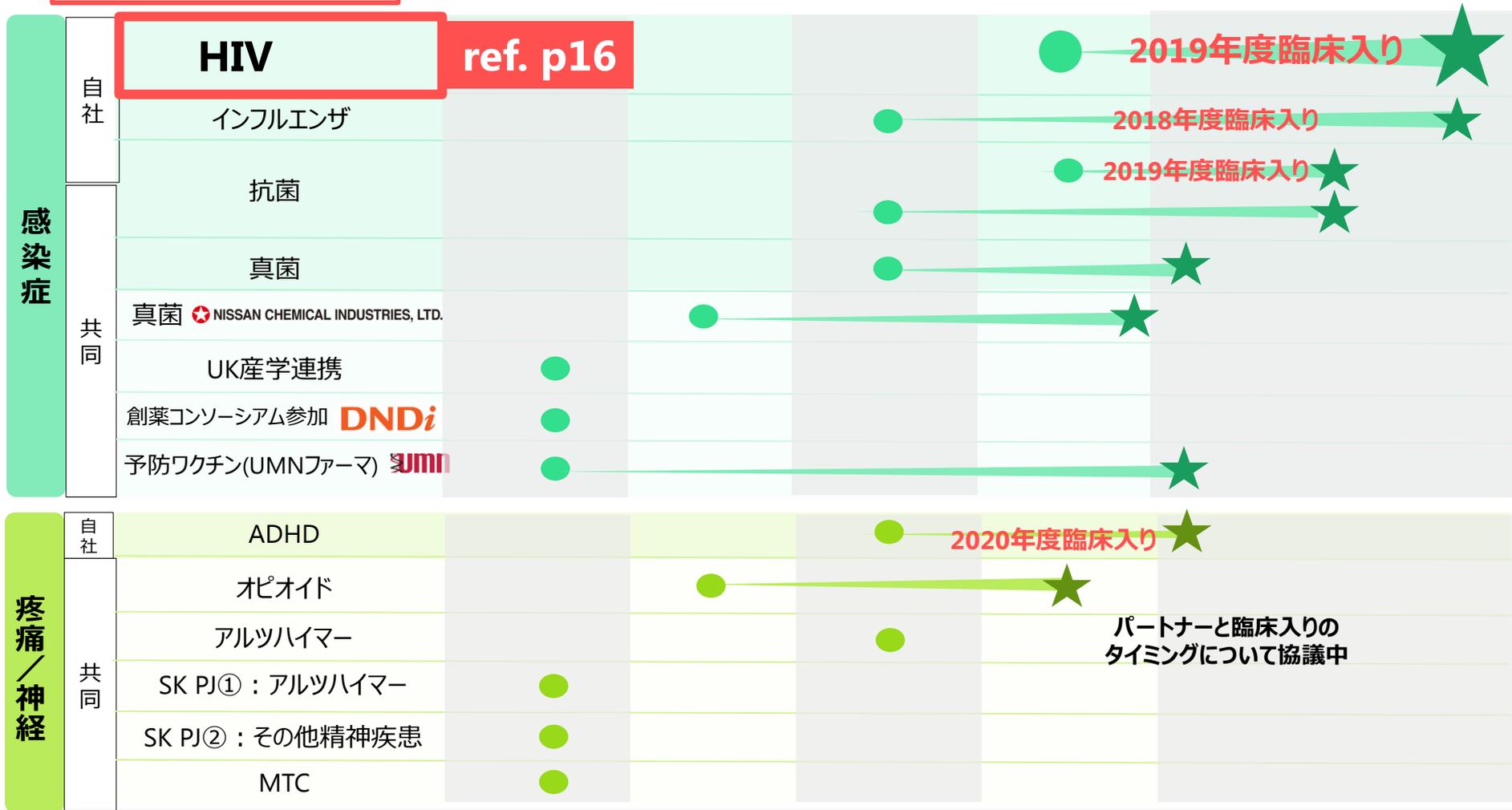
成長ドライバーをさらに創出し続けるステージへ

さらなる成長ドライバーの創出に向けた取り組み

① Phase I品目ラインナップの拡充（感染症、疼痛/神経）



2018年度は、赤枠の7品目に集中する

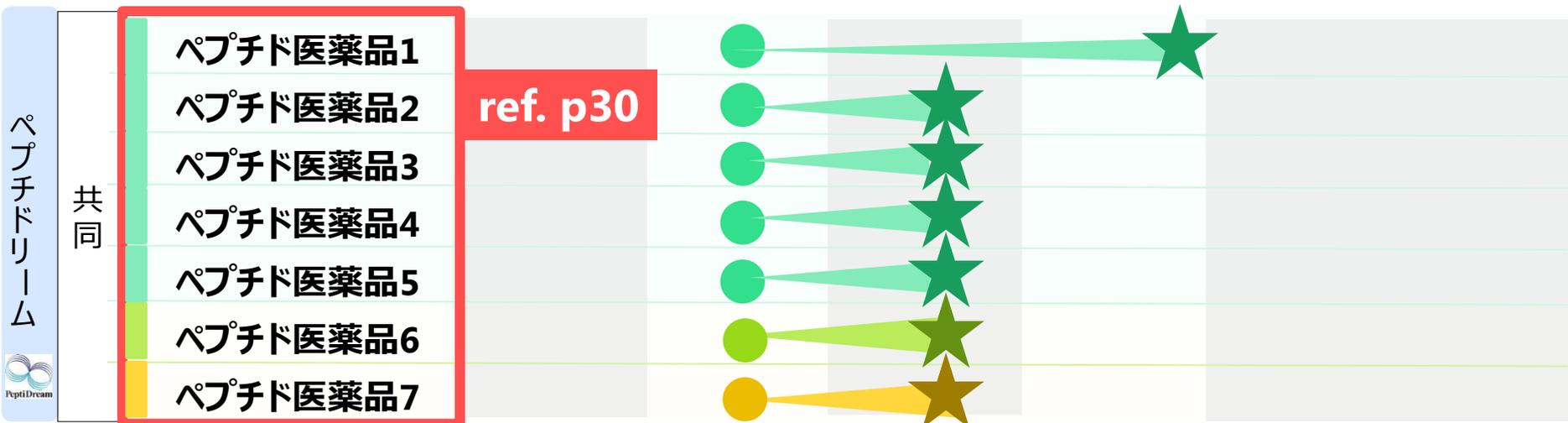
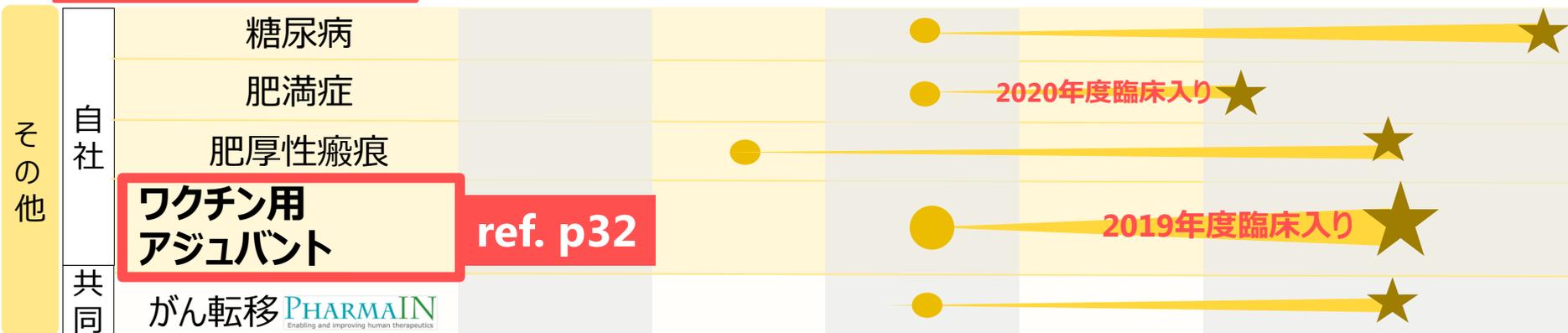


さらなる成長ドライバーの創出に向けた取り組み



① Phase I 品目ラインナップの拡充（その他）

2018年度は、赤枠の7品目に集中する

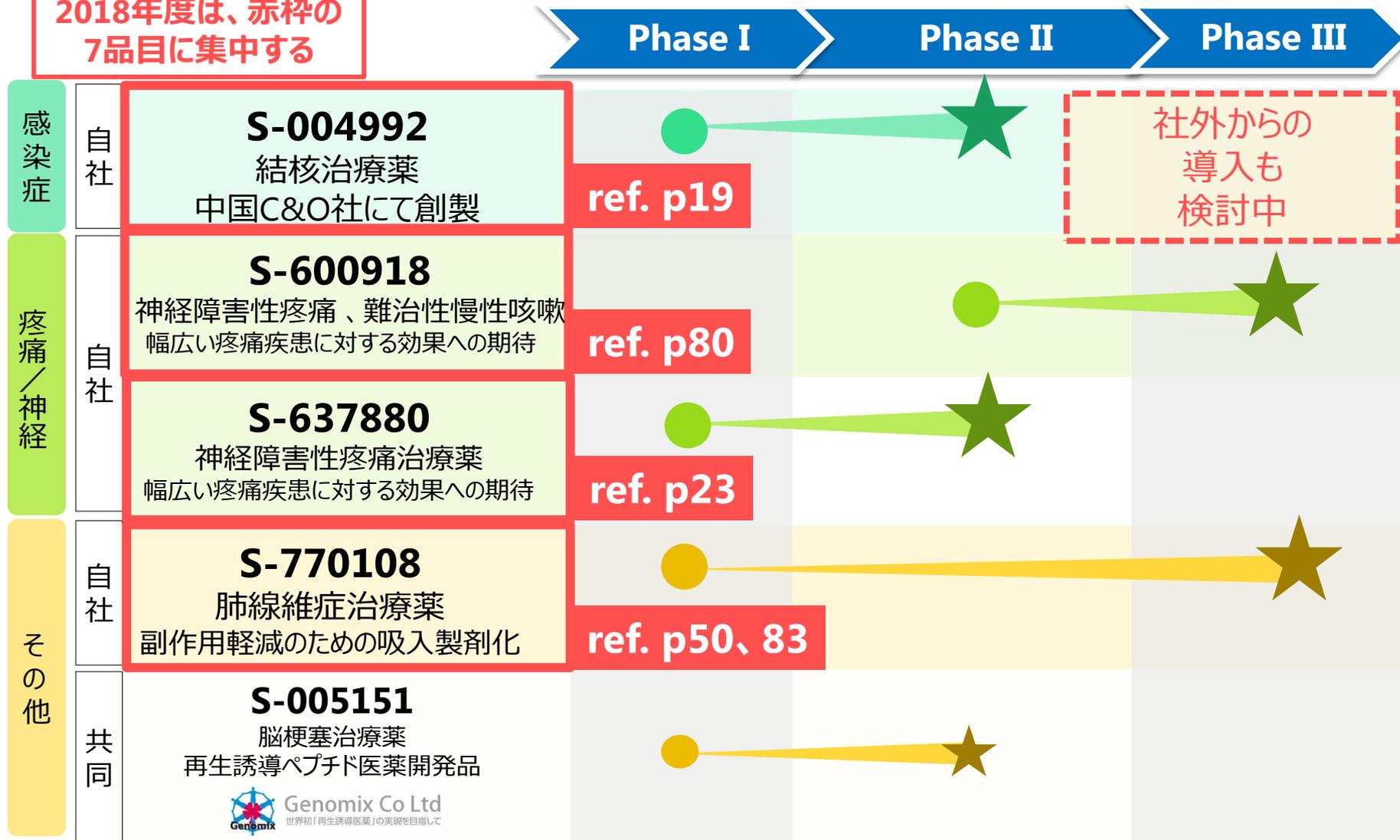


さらなる成長ドライバーの創出に向けた取り組み

② Phase IIおよびPhase III品目の拡充



2018年度は、赤枠の7品目に集中する



成長ドライバーをさらに創出し続けるために

研究開発の“ギアチェンジ”を完了

自社創薬および共同研究をさらに強化・拡大・加速

- 早期研究プログラム
- 研究基盤

2020年度の豊富なPhase I～Phase IIの
品目ラインナップを実現

2018年度の目標（まとめ）



	17年度成果	18年度目標	2017年度～ 2020年度の目標
研究	開発候補品：1品目	3品目	開発品 10品目創出
	開発品：4品目	2品目	
CMC	創薬前臨床開始： 0品目	2品目	4品目以上
	新技術獲得：2件	1件	3件以上
	LCM前臨床開始： 1品目	1品目	2品目以上
開発	申請：4品目・6適応	3品目・4適応	10品目以上の グローバル上市*
	承認：4品目	3品目	

パイプラインの状況 (2018年3月現在)



非臨床	Phase I	Phase II	Phase III	申請	
インフルエンザウイルス感染症	海外開発品	セフィデロコル 多剤耐性グラム陰性菌感染症	バロキサビル マルボキシル インフルエンザウイルス感染症	Rizmoic® (欧州) オピオイド誘発性便秘症	
HMウイルス感染症		S-004992 結核	S-120083 炎症性疼痛	セフィデロコル 多剤耐性グラム陰性菌感染症	Mulpleta® (米国) 慢性肝疾患による血小板減少症
抗菌		S-117957 不眠症	S-707106 2型糖尿病		Mulpleta® (欧州) 慢性肝疾患による血小板減少症
抗菌		S-237648 肥満症	S-488210 頭頸部がん		
真菌感染症			epertinib 悪性腫瘍		
真菌感染症			S-588410 膀胱がん		
ペプチド医薬品	国内開発品	セフィデロコル 多剤耐性グラム陰性菌感染症	セフィデロコル 多剤耐性グラム陰性菌感染症	オキシコドン 慢性疼痛における鎮痛	
予防ワクチン		S-637880 神経障害性疼痛	S-237648 肥満症	インチュニブ® 成人ADHD	リスデキサンフェタミン 小児ADHD
ADHD		S-600918 神経障害性疼痛・難治性慢性便秘	S-525606 スギ抗原によるアレルギー性鼻炎	サインバルタ® うつ病・うつ状態(小児)	
オピオイド		S-010887 神経障害性疼痛	S-588410 膀胱がん	S-588410 食道がん	
ペプチド医薬品		S-770108 特発性肺線維症		ゾフルーザ™ インフルエンザウイルス感染症 (顆粒剤)	
アルツハイマー病		S-005151 脳梗塞			
糖尿病					
肥満症					
肥厚性癩痕					
がん転移					
アジュバント					
ペプチド医薬品					

赤枠は2018年度優先度の高い品目

- 感染症
- 疼痛・神経
- その他

パイプラインの状況 (2018年3月現在)



非臨床	Phase I	Phase II	Phase III	申請
アウトライゼンス	<p>GSK3342830 多剤耐性グラム陰性菌感染症</p>		<p>DTG+3TC HIV感染症</p> <p>CAB 持続性注射製剤 HIV感染予防</p> <p>CAB+RPV 持続性注射製剤 HIV感染症</p> <p>Janssen/シオノギβセクレターゼ[®] 阻害薬 アルツハイマー病</p> <p>Osphena[®] 閉経後膣萎縮症に伴う膣乾燥感</p>	<p>感染症</p> <p>疼痛・神経</p> <p>その他</p>

質疑応答

将来の見通しに関する注意事項



- 本資料において提供される情報は、いわゆる「見通し情報」(forward-looking statements) を含みます。これらの文言は、現在における見込み、予測、リスクを伴う想定、実質的にこれらの文言とは異なる現実的な結論・結果を招き得る不確実性に基づくものです。
- それらリスクや不確実性には、一般的な業界ならびに市場の状況、金利、通貨為替変動といった一般的な国内および国際的な経済状況が含まれます。
リスクや不確実性は、特に製品に関連した見通し情報に存在します。製品のリスク、不確実性には、技術的進歩、特許の競合他社による獲得、臨床試験の完了、製品の安全性ならびに効果に関するクレームや懸念、規制機関による審査期間や承認取得、国内外の保険関連改革、マネジドケア、健康管理コスト抑制への傾向、国内外の事業に影響を与える政府の法規制など、新製品開発に付随する課題などが含まれますが、これらに限定されるものではありません。
- 承認済みの製品に関しては、製造およびマーケティングのリスクがあり、需要を満たす製造能力を構築する能力を欠く状況、原材料の入手困難、市場の受容が得られない場合などが含まれますが、これに限定されるものではありません。
- 新しい情報、将来の出来事もしくはその他の事項により、見通し情報に更新もしくは改正が望ましい場合であっても、それを行う意図を有するものではなく、義務を負うものではありません。
- 本資料には、医薬品（開発中の製品を含む）に関する情報が含まれておりますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。
- 本資料は国内外を問わず、投資勧誘またはそれに類する行為を目的として作成されたものではありません。
- 本資料の利用にあたっては、利用者の責任によるものとし、情報の誤りや瑕疵、目標数値の変更、その他本資料の利用の結果生じたいかなる損害についても、当社は一切責任を負いません。