



科研製薬株式会社

R&D 説明会

2025 年 12 月 10 日

イベント概要

[企業名] 科研製薬株式会社

[企業 ID] 4521

[イベント言語] JPN

[イベント種類] アナリスト説明会

[イベント名] R&D 説明会

[決算期]

[日程] 2025 年 12 月 10 日

[ページ数] 48

[時間] 13:30 – 14:49
(合計：79 分、登壇：44 分、質疑応答：35 分)

[開催場所] 科研製薬株式会社 本社・インターネット配信

[登壇者] 6 名
代表取締役社長 堀内 裕之 (以下、堀内)
取締役 研究開発本部長 綿貫 充 (以下、綿貫)
執行役員 研究開発本部副本部長 新薬創生センター長
原田 達広 (以下、原田)
研開企画部長 加藤 保富 (以下、加藤)
臨床開発部長 川端 英樹 (以下、川端)
広報 I R 部 部長 亀津 学 (以下、亀津)

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



[アナリスト]	モルガン・スタンレーMUFG 証券	李 在憲
	大和証券	橋口 和明
	モルガン・スタンレーMUFG 証券	村岡 真一郎
	野村証券	前田 晃太

*質疑応答の中で発言をしたアナリスト、または質問が代読されたアナリストの中で、SCRIPTS Asia が特定出来たものに限る

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



登壇

亀津： それでは、お時間となりましたので、科研製薬株式会社、R&D 説明会を開催させていただきます。本日はお忙しい中、当社説明会にご参加いただき誠にありがとうございます。本説明会では、当社の研究開発の取り組みや今後の展望について、皆様にご理解いただける場となれば幸いです。

本日の司会を務めます、広報 IR 部の亀津でございます。どうぞよろしくお願いいたします。

今回の説明会は、会場での実施と同時に Zoom によるライブ配信を行うハイブリッド形式で開催させていただきます。ハウリング防止のため、会場内でライブ配信をご視聴の際はマイクオフ、スピーカーオフにてご参加くださいますようお願い申し上げます。

ここで Zoom からご参加の皆様にご案内いたします。視聴中に配信が途切れたり映像が固まったりした場合は、時間を置いてから再度アクセスをお願いいたします。映像、音声に不具合等があり十分に視聴できなかった等ございましたら、後日、当社ホームページに動画を掲載いたしますので、そちらをご覧くださいますようお願いいたします。

また、本説明会の内容をより深くご理解いただくために、後日、スクリプト配信を予定しております。説明会中の発言やプレゼンテーションの内容が含まれますので、皆様のご理解とご協力を賜りますようお願い申し上げます。

それでは、会社側出席者のご案内をさせていただきます。本日の出席者は、代表取締役社長 堀内裕之、取締役 研究開発本部長 綿貫充、執行役員 研究開発本部副本部長 原田達広、研開企画部長 加藤保富、臨床開発部長 川端英樹でございます。

本日の予定はこちらでございます。質疑応答を含めて全体で 1 時間程度を予定しております。質疑応答は全ての説明終了後にお時間を設けてございます。初めに、会場参加者の方々からのご質問を頂戴し、続いて Zoom でご参加の皆様からのご質問にご回答いたします。

本日の説明会における注意事項でございます。本日の説明は当社 Web サイトに掲載しております説明会資料に沿って行います。説明会資料に記載されている内容は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が合理的と判断したもので、これら将来の技術と大きく異なる可能性があることはご承知おきください。また、医薬品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や医学的アドバイスを目的としているものではございません。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



それでは、会に先立ちまして、代表取締役社長、堀内より一言ごあいさつ申し上げます。

堀内：社長の堀内でございます。本日は、当社の R&D 説明会へご参加いただき、またオンライン等を通じてご視聴いただいておりますことを大変ありがたく感じております。ありがとうございます。

実は今回、当社の R&D 説明会を初めて行うということでございます。研究開発型の企業として、将来を左右するパイプラインの状況、こういうものを皆様方に広くお話しできるようにやっとなったかなと、大変自分の中でもうれしく思っている次第でございます。

当社は 2022 年に長期経営計画 2031 を策定いたしまして、その実現に向けたパイプライン拡充を目標とし、研究活動および導入を今まで積極的に行ってまいりました。現時点で導入品が 10 品目、パイプラインが 12 品目というところまで達してきております。

今後、当社のこの独創性のある研究、創薬をより進めていくために、まだまだパイプラインの拡充が必要であると考えております。本日、皆様方にご案内させていただくパイプライン等については、当社の将来において、ますます必要となるものの第一歩であると考えております。皆様方のご意見とか、ご支援、ご指導等をまた本日いただければ、それを励みにより活動を進めていきたいと考えておりますのでよろしくお願いします。

では、時間も限られている中ではございますが、本日はよろしくお願い申し上げます。ありがとうございます。

亀津：それでは、取締役 研究開発本部長の綿貫よりご説明いたします。

綿貫：研究開発本部長の綿貫でございます。本日はよろしくお願いいたします。私からは、R&D 説明会といたしまして、この 2031 年に向けた成長戦略、R&D の観点からということでご説明申し上げます。よろしくお願いいたします。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



VISION

1. 画期的新薬の迅速な創出・提供により健康寿命延伸に貢献し続ける企業
2. 皮膚科、整形外科領域を中心にグローバルに展開する創薬企業

VISIONの 実現に向けた戦略

“3Xs”

～3つのTransformation～

1st X
研究開発
Transformation

2nd X
海外展開
Transformation

3rd X
経営基盤
Transformation

まず、企業ビジョンと R&D 戦略でございます。

当社のビジョンは、画期的新薬を迅速に創出し、健康寿命の延伸に貢献する、そういった企業、また、皮膚科、整形外科を中心としたグローバルに展開する創薬企業でございます。そのために創薬のスピードと質、海外での事業展開、そして経営基盤の強化、この三位一体で 2031 年を見据えた成長基盤を描いております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

R&Dのビジョンと戦略

VISION

重点創薬3領域を中心に世界に通ずる画期的新薬を継続的に上市

方針

- ・ 自社研究基盤の活用
- ・ 新規診療領域への展開
- ・ 新たなモダリティへの挑戦
- ・ 研究開発への積極的投資

施策

- ① 上市確度の向上
 - ・ 研究開発期間の短縮に向けたプロセス革新・効率化
 - ・ 成功確度の向上に向けたアプローチの多様化
- ② パイプラインの拡充
 - ・ 導入の拡大
 - ・ 開発早期における外部活用アプローチ
 - ・ 積極的な適応拡大・リポジショニング
- ③ 新規ニーズ・海外展開への対応
 - ・ アンメットメディカルニーズに向けた独自ターゲットの見極め
 - ・ 海外開発を見据えた研究開発
- ④ 新規分野へのチャレンジ
 - ・ 再生医療を実現化するモダリティの選定・実行
 - ・ 整形外科・皮膚科領域でのデジタル活用の検討

研究開発等投資額として
10年間で2,600億円を設定

目標

- ・ 10年間で8品目上市するためのパイプライン確保（P1以降プロジェクトを常時8品目以上）
- ・ 毎年1品目以上の開発導入品or販売提携品を確保（10年で10品目、うち海外展開5品目）



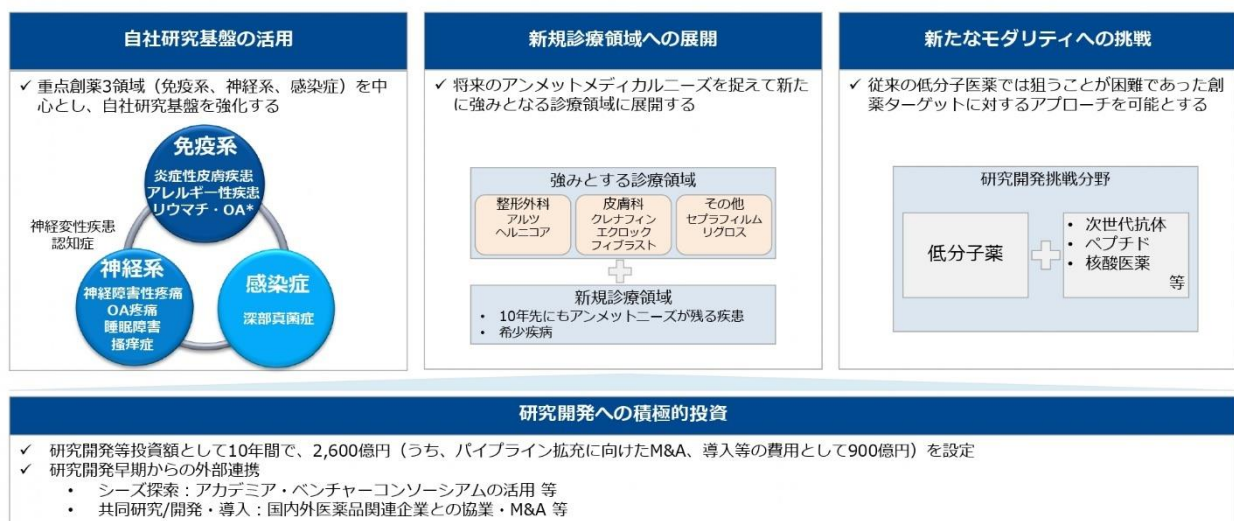
Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

5

研究開発では、当社のビジョン達成のため、世界に通ずる画期的新薬を継続的に上市するということを目指しております。これを実現するために、上市確度の向上、パイプラインの拡充、そして新規ニーズと海外展開、こういったものの対応を図りつつ、開発品、導入、それから自社創薬、このバランスを持ちまして当社のパイプラインの価値最大化を果たしてまいります。

R&Dに関する基本方針

▶ 研究開発については、以下の4つを基本方針とし、各種施策に取組む。



* OA (Osteoarthritis): 変形性関節症



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

6

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



R&Dの方針といたしまして、当社が強みとしています重点創薬領域のさらなる強化、拡大、さらに早期からの積極的な外部連携としての共同研究開発や導出／入、また低分子化合物では対応できないようなターゲットに対する新たなモダリティへの挑戦を挙げております。

すなわち、自社創薬基盤の強化拡充と外部連携の積極的な活用で、探索から開発まで、質・量を高める設計としております。

研究開発費の推移



2021年以降のトランザクション

自社開発品のステージアップ	NM26、KP-483、KP-910、KP-723 (STAT6)
導入	デリバライドBS、KC-8025、チルダセルフォント、シルクエラスチン、ESK-001、セベトラルスタット、ナベニバルト、gMSC1
導出・知的財産譲渡	クレナフィン（中国、欧州）、エクロック（韓国）、NM26（J&J）、STAT6（J&J）
M&A	アーサム社（KP-001、KP-648）、アーディ社（Fyarro）
共同研究・開発契約	NM26-2198（ニューマブ社）、ND081（ニューマブ社）、エクソソーム創薬（セルソース）、Axcelead DDP
その他	AI創薬プラットフォーム（Elix）、DTx（クロスメッド）



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

7

ここでは、左に研究開発費の推移、右に開発プロジェクト数の推移をお示ししております。

2021年以降のトランザクションでお示ししていますように、2021年以降は自社創薬、それから共同研究開発、導入、導出、M&Aが盛んになっております。こういったことから開発プロジェクト数が著しく増加し、特に長期経営計画がスタートいたしました2022年以降、研究開発費も大幅に増加しております。

当社は自社創薬から後期開発品の導入まで多様な手段を持って、それぞれ確度の高いポートフォリオへと進化させ、将来の科研製薬を担います新薬の上市へとつなげていくように全力で取り組んでいるところでございます。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



ロケーション



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

9

次に、R&D 体制をお示いたします。

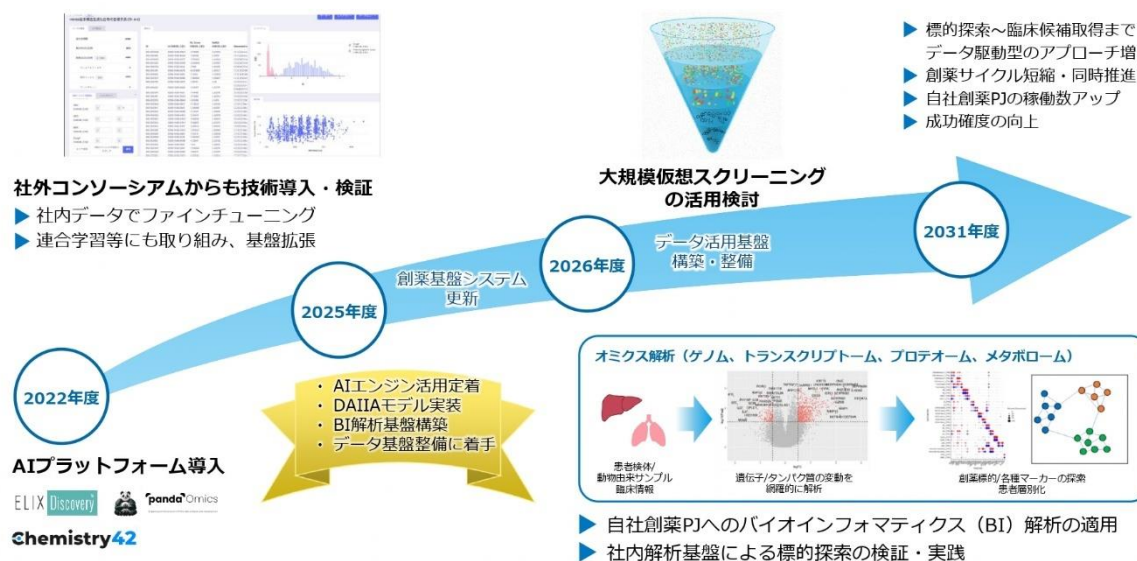
創薬研究を担います新薬創生センター、これは京都と静岡にあります。また、原薬製造や製品化を担います CMC センター、こちらは静岡に静岡工場と併設しております。本社には臨床開発、信頼性保証、研開企画、業務管理の部門があります。探索から非臨床、そして CMC、臨床のバリューチェーンで実装できるような体制に加えまして、共同研究や外部ソースを積極的に活用してまいります。

サポート

日本 050-5212-7790
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



AI創薬の開始～現在～今後の取り組み：データ駆動型創薬の実践に向けて



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

11

続いて、新薬開発の要であります創薬研究の改革について少しご説明いたします。

ここではAI創薬体制の構築ロードマップといたしまして、開始から現在、そして今後の目指すところをお示ししております。2022年にAIプラットフォームを導入し、現在までElixとの協力体制のもと、AIエンジンの活用が定着している状況になっております。

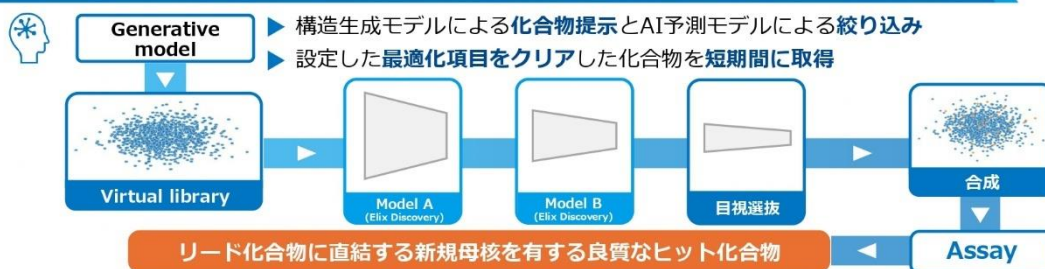
さらに、バイオインフォマティクス、言語学習、データ基盤構築を進めており、将来的には標的探索から臨床候補まで、データ駆動型創薬を拡張し、創薬サイクルの短縮と成功確度の著しい向上を目指してまいります。

サポート

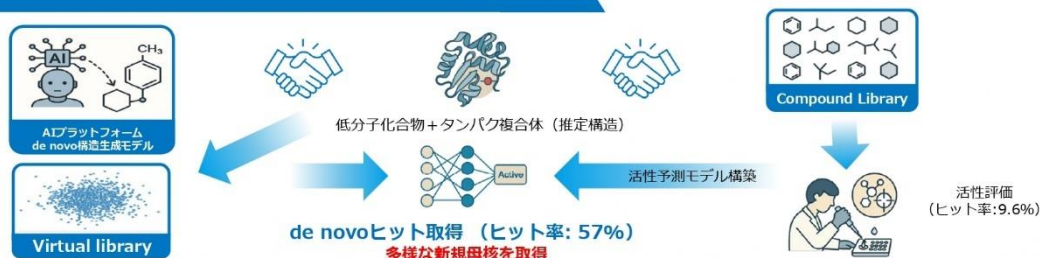
日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



活用例1：構造生成モデルを活用した良質な新規ヒット取得



活用例2：De novoデザインによるヒット取得



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

12

次に、AI 創薬の具体的な活用事例をご紹介します。

まず構造生成モデルを用いました新規ヒット化合物の取得についてでございます。従来の創薬では、膨大な化合物ライブラリーから候補を選ぶため、時間とコストがかかっておりました。現在は、構造生成モデルによりまして化合物を提示し、AI 予測モデルによって絞り込みをすることで、リード化合物に直結するような新規ヒット化合物を短期間に取得することができております。

続きまして、活用事例2でございます。こちらは De novo 構造生成モデルによりまして、最適化項目を満たします化合物を短期間で取得できる体制を構築したということでございます。このアプローチによりまして、ヒット率は従来の 9.6% から 57% へと大幅に向上し、多様な新規母核を短期間で取得できる状態でございます。これは、創薬サイクルの短縮と成功確度の向上に直結する重要な成果でございます。

以上のような、AI によります構造生成というモデルの統合により、当社の創薬競争力を飛躍的に高める、そういった技術基盤であると考えております。

サポート

日本

050-5212-7790

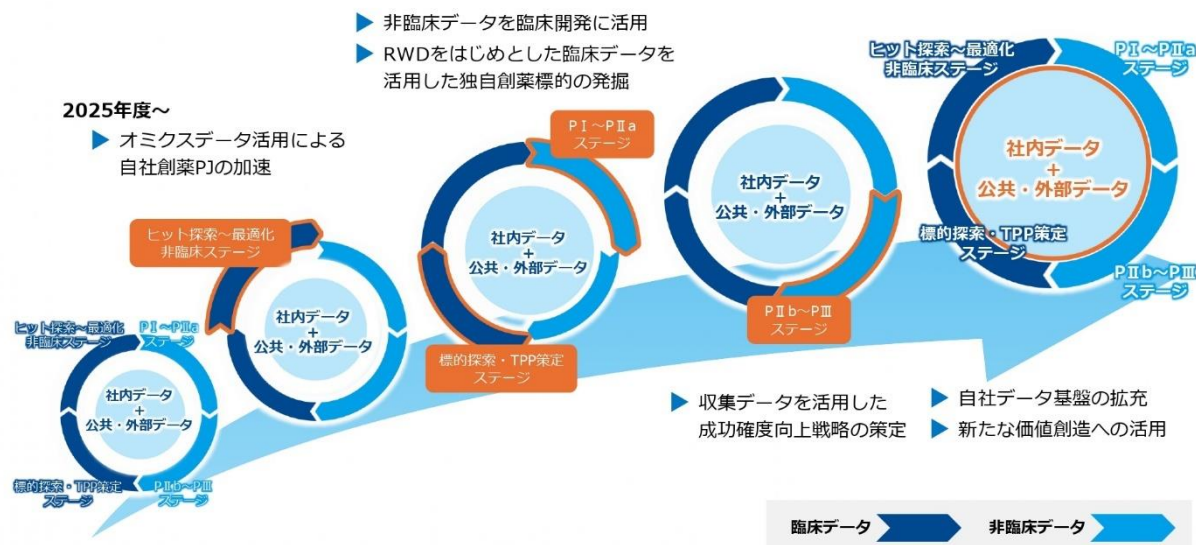
フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



オミクス情報を活用したデータ駆動型創薬の実践に向けて



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

13

また、オミクスデータの活用により自社創薬プロジェクトの加速にも取り組んでいるところでございます。標的探索から臨床まで、臨床リアルワールドデータと非臨床データをグループで活用できるようにしていくことを計画しております。

このように、データ駆動型創薬を社内標準とすべく、体制作りを進め、新たな価値を創造してまいります。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



▶ NM26…抗体医薬品（二重特異性）

- IL-4/IL-13/IL-31を同時阻害 ▶ アンメットニーズへの対応、既存抗体薬との差別化
- ニューマブ社との共同研究・開発 ▶ J&Jへの知的財産譲渡 ▶ グローバル展開へ

▶ KP-723…低分子STAT6阻害薬

- 2型炎症をターゲットとした低分子経口剤 ▶ アンメットニーズへの対応、投与利便性
- 自社創薬・開発 ▶ J&Jとのライセンス契約 ▶ グローバル展開へ
- 最大マイルストーン12億ドル+ロイヤリティ収入

自社創薬研究から大型グローバル展開品へ



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

15

続きまして、本日は創薬重点領域の一つの免疫領域、この創薬研究、またそれからグローバル展開についてご説明いたします。

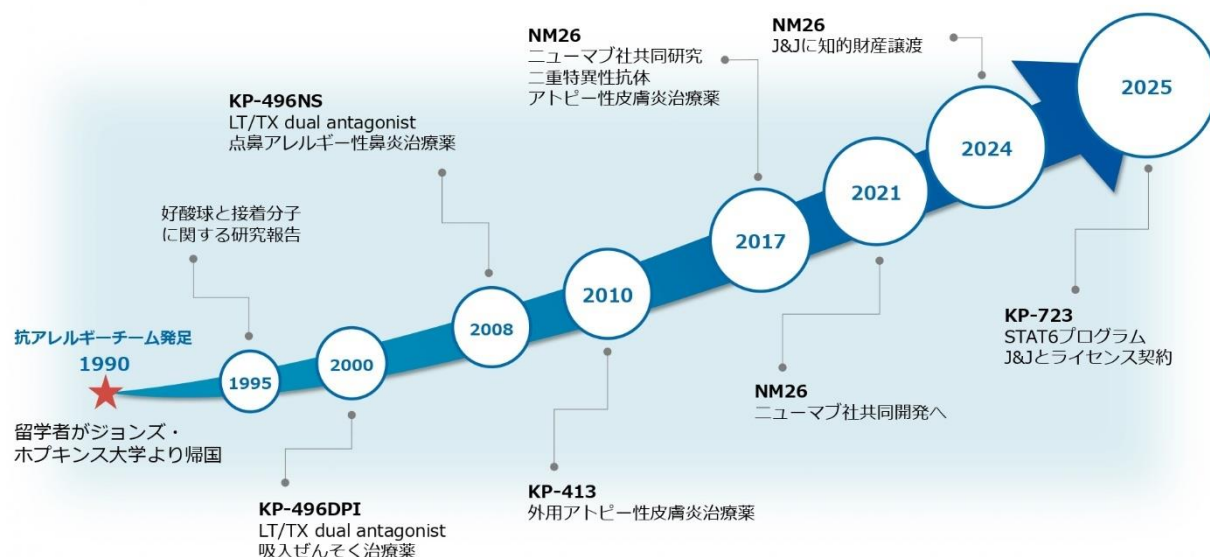
この領域では、アトピー性皮膚炎など2型炎症性疾患に対する創薬研究の成果が、昨年、知的財産譲渡、それからライセンス契約締結につながっております。これらはグローバルな大型品になるものと大きく期待をしています。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



科研製薬のアレルギー性疾患治療薬の創薬研究



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

16

当社は昨年、こういった2型炎症性疾患の領域で大きな話題を提供できたわけですが、周りからなぜ科研製薬かという声を聞くことがあります。そこで、当社におけますアレルギー性疾患治療薬の創薬研究について少しお話させていただきたいと思います。

当社の抗アレルギー剤の創薬研究は、IgEを発見しましたジョンズ・ホプキンス大学の石坂公成先生、それから照子先生、この2人のもとに留学しておりました研究員が1990年帰国いたしまして、そこで抗アレルギーチームを発足させたことから始まっております。

実は当社では早期から、ここにあります好酸球と接着分子に関する研究報告をしたということからもお分かりのとおり、当初から2型炎症に係る2型ヘルパーT細胞に依存する好酸球をターゲットとした研究を進めておりました。

一方で、ケミカルメディエーターやケラチノサイトをターゲットとし研究も進めており、喘息やアレルギー性鼻炎をターゲットとしたKP-496、また、アトピー性皮膚炎をターゲットといたしましたKP-413といった開発品が臨床ステージまで進んでおりました。

あまり多くの方にはご存じいただいていないところですが、当社はアレルギー学会等の研究成果の発表、また論文投稿等もしてきた実績がございます。この後、この領域の創薬研究を継続して、2017年にはニューマブ社との共同研究の開始。また、同時期にSTAT6阻害剤の創薬研究を開始。結果といたしまして、NM26やKP-723の開発につながったものと考えております。

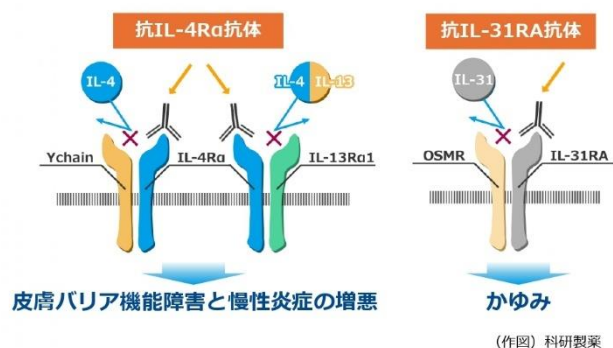
サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

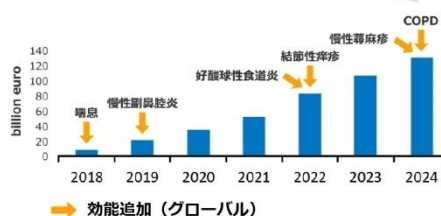


科研製薬といたしましては、急にこの領域の創薬研究を始めたということではなくて、実は 34 年以上にわたり研究を積み重ねてきたところでございます。

アトピー性皮膚炎など2型炎症性疾患に対する医薬品開発



- ・デュピルマブの2024年売上は2兆円以上
- ・標的に基づく適切な効能追加が売上に寄与



(出典) Sanofi HP開示資料より作図

IL-4RaおよびIL-31RAは、アトピー性皮膚炎のプロミッシングな標的である



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

17

さて、皆様ご存じいただいているとおり、IL-4 受容体に対します抗体製剤であります、デュピルマブ、この成功から多くの製薬企業が今、2 型炎症性疾患領域の研究開発に乗り出しております。また、近年ではかゆみの主体であります、IL-31 受容体に対する抗体製剤、ネモリズマブが上市されておりまして、その実績を上げているところでございます。

アトピー性皮膚炎に対します抗 IL-4 受容体抗体は、IL-4 や IL-13 をブロックすることで、炎症反応を強く抑制することができます。しかしながら IL-31 を介した強いかゆみということを十分抑制することはできておりません。そこで、ニューマブ社と共同で研究、それから開発してきました NM26 の発想となりました。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

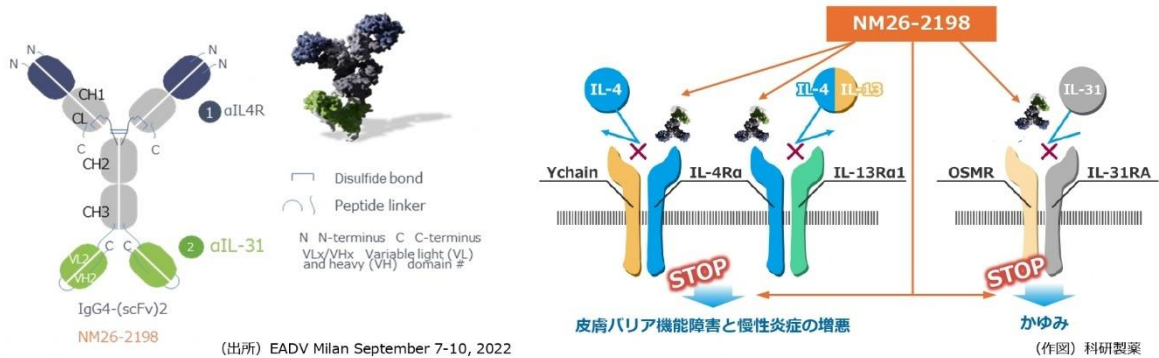
0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com



NM26 : アトピー性皮膚炎の治療を目的とした二重特異性抗体

- ▶ アトピー性皮膚炎の治療を目指す**二重特異性抗体**
- ▶ **IL-4RaとIL-31**の2つの標的に**同時に結合**
- ▶ IL-4/IL-13シグナル伝達の阻害と、IL-31の中和を**一剤で制御**する



NM26-2198はたった 1つの抗体でアトピー性皮膚炎の主訴をブロック



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

18

IL-4 受容体 α に対します結合部位と IL-31 に対する結合部位を有する二重特異性抗体でございます。これによりまして、1 剤で IL-4/IL-13 を介する炎症の抑制と IL-31 を介するかゆみを同時にブロックするということを可能とする抗体製剤の開発、これにつながっております。

本剤は昨年 5 月に Johnson & Johnson 社に知的財産譲渡いたしました。本剤は現在の治療では、寛解に至らない、そういったアトピー性皮膚炎の患者さんの症状を改善することができる薬剤となると考えております。

サポート

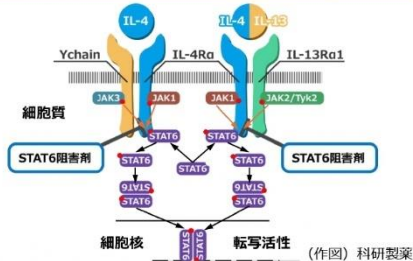
日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



2型炎症をターゲットとした経口STAT6阻害剤

デュピルマブとSTAT6阻害剤の違い

- ▶ **標的の違い**
抗体は細胞外のIL-4Rαを阻害
STAT6阻害剤は細胞内のシグナル伝達を直接阻害
- ▶ **作用範囲の違い**
抗体はIL-4/IL-13のみに特化した阻害薬
STAT6阻害剤はSTAT6関連シグナルを広く阻害
- ▶ **投与経路の違い**
抗体は注射剤（皮下投与）
STAT6阻害剤は経口剤



STAT6 : IL-4/IL-13シグナルのマスター転写因子

STAT6は多くの作用を有する

- ▶ Th2細胞の分化促進（免疫応答）
- ▶ IgE産生の促進（B細胞への作用）
- ▶ 気道過敏性（喘息・アレルギー反応）

その阻害剤は広範囲の2型炎症に対する治療薬となる可能性があり、期待が集まっている



注目度と完成度の高さから
Johnson & Johnsonとライセンス契約締結へ



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

19

そして、STAT6 阻害剤についてご説明申し上げます。

まず、STAT6 でございますが、IL-4/IL-13 のシグナルのマスター転写因子でございます。2 型ヘルパー T 細胞の分化、アレルギー反応を惹起する IgE の産生、過敏性といった作用を有し、2 型炎症の発症に大きく関わっております。

現在、次世代の 2 型炎症に対する創薬研究のターゲットとして注目され、多くの製薬企業でこの STAT6 阻害剤の研究開発が進められ、激しい競争となっているところでございます。

当社では、経口投与可能な 2 型炎症治療薬といたしまして、STAT6 阻害剤の創薬研究を進めておりました。昨年、Johnson & Johnson 社とライセンス契約を締結いたしました。当社のこういった創薬研究が、グローバルのメガファーマに認められたということと同時に、当社自社創薬品の最短のグローバル展開、また価値最大化の道筋ができたのではないかと考えています。

NM26、それから STAT6 阻害剤、いずれも当社が培ってきました免疫領域の国際研究から生み出され、契約一時金やマイルストーンはもちろんのこと、将来的には大きな販売ロイヤリティ収入も期待できるような開発品となっております。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



NM81：ニューマブ社との新たな共同研究～開発へ

創薬コンセプト

2024年11月共同研究開始～2025年11月共同開発へ

炎症性腸疾患（IBD）のアンメットニーズ

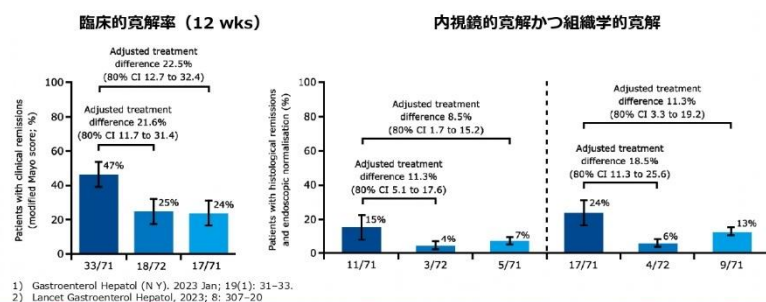
- ▶ 生物学的製剤やJAK阻害剤の臨床試験での**臨床的寛解率**は高くても**30-40%程度**¹⁾
➡ より高い有効性を示す薬剤が求められている

新たな知見

標的の異なる**2つの抗体の併用投与**で、臨床的寛解率および**内視鏡的寛解かつ組織学的寛解が大きく増加**²⁾

創薬コンセプト

- ▶ 複数の標的を1分子で阻害
➡ 既存薬より高い臨床寛解率を期待



(出典) EADV Milan September 7-10, 2022



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

20

その流れでございますけども、昨年11月にニューマブ社と共同研究を開始し、本年11月に共同開発しましたNM81についてご説明いたします。

こちらも免疫領域であり、対象疾患は炎症性腸疾患、IBDです。IBD治療は抗体製剤の登場によりまして、臨床的寛解率が著しく向上しているという状況でございますが、その寛解率は高くても30から40%に留まっていると言われております。さらなるこういった臨床的寛解率、それから内視鏡的、組織的な寛解率を向上させるといった、そういった薬剤の登場が待ち望まれているところでございまして、実はこの疾患領域の研究開発も多くの製薬会社が乗り出しているところでございます。

近年、臨床研究におきまして二つの抗体製剤を併用するという事で、いずれの寛解率も上昇したといったことが報告されております。そこで、当社とニューマブ社では、臨床的最大効果を導き出せるような、そういった複数のターゲットを同時にブロックするということができる多重特異性抗体の研究開発を進めております。

本剤は既存治療では出せないような高い寛解率を示すことができる画期的な新薬になる可能性がございます。このプロジェクトの進捗につきましても非常に楽しみにしているところでございます。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



パイプラインの状況

自社創薬・導入

2025年11月10日時点
※開発段階は臨床試験の準備期間を含む

プロダクト	開発段階※	診療領域	予定適応症	備考
KAR	PⅢ	皮膚科、小児科	アタマジラミ症	アーバー・ファーマシューティカルズ社（現アズリティ社）より導入（海外での製品名：Sklice）
KP-001	PⅢ	小児科、形成外科、血液腫瘍科、皮膚科	難治性脈管奇形	自社創薬品 検証的試験のトップラインデータを公表
KC-8025	PⅢ	消化器内科、肝臓内科、内科	原発性胆汁性胆管炎	シーマベイ・セラピューティクス社（現ギリアド・サイエンシス社）より導入 海外での製品名：Livdelzi（US,UK,CA） Lyvdelzi（EU）
ESK-001	PⅢ	皮膚科	尋常性乾癬	アルミス社より導入 アルミス社が国際共同PⅢ試験を実施中
ナベニバルト	PⅢ	アレルギー科、皮膚科、内科、耳鼻咽喉科	遺伝性血管性浮腫	アストリア・セラピューティクス社より導入 アストリア社が国際共同PⅢ試験を実施中
KP-483	PⅠ	—	固形がん（がん免疫療法）	自社創薬品
KP-910	PⅠ	整形外科、ペインクリニック科、糖尿病内科	末梢性神経障害性疼痛	自社創薬品
チルダセルフォント	PⅠ	小児科、内科	先天性副腎過形成症	スブルース・バイオサイエンス社より導入
KP-001（米国）	PⅢ	小児科、形成外科、血液腫瘍科、皮膚科	難治性脈管奇形	自社創薬品 PⅢ実施に向けて準備中

※ジョンソン・エンド・ジョンソン社（J&J社）とライセンス契約を締結したKP-723（STAT6阻害剤）は現在、前臨床段階であり、当社がPⅠ試験完了まで進めます。



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

22

続きまして、研究開発パイプラインの説明をさせていただきます。

こちらのスライドでは、当社の開発パイプラインの全体像をお示ししております。自社創薬と導入、これによりまして収益化の時間軸を段階的に支える、そういった状況になっているのではないかと考えております。現在、PⅢ段階のものが多く、KP-001とKARはPⅢのトップラインが出たところがございます。本日は、このPⅢ段階のものにつきまして、後ほど個別にご説明申し上げます。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



その他の開発状況



その他の開発状況

2025年11月10日時点

プロダクト	予定適応症	開発段階	備考
セベトラルスタット	遺伝性血管性浮腫	申請中	・ライセンス元のカルピスタ・ファーマシューティカルズ社が製造販売承認を申請中 ・米国、欧州で承認取得（海外での製品名：Ekterly） ・日本での独占的販売権を有する
gMSC1	軟骨欠損を伴う変形性膝関節症	PⅢ準備中	・再生医療等製品（同種（他家）滑膜間葉系幹細胞由来三次元人工組織） ・ライセンス元のツールセル社が製造販売承認の取得に向けた開発を実施する ・日本国内の整形外科領域における本製品の共同開発権、独占的販売権を有する
NM26	アトピー性皮膚炎	PⅡ	・知的財産譲渡に伴い、J&J社が臨床試験を実施中 ・J&J社が日本で承認取得するすべての適応症について販売提携契約を交渉するオプション権を有する



海外導出品の状況

一般名 （国内販売名）	予定適応症	開発段階	導出先（開発国）
エフィコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	PⅢ	AIM社（中国）
エフィコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	承認	アルミラル社（ドイツ：2025年8月に製造販売承認を取得） ※イタリアでは2025年3月に製造販売承認を取得
ソフピロニウム臭化物 （エクロック）	原発性腋窩多汗症	承認	ドンファ社（韓国：2025年8月に販売承認を取得）



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

23

続いて、その他の開発状況についての一覧でございます。

本日はこの中からセベトラルスタットにつきまして後ほどご説明いたします。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



KAR：既存治療で効果不十分なアタマジラミ症

イベルメクチン0.5%外用剤

厚生労働省の「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」における開発企業の公募に対し、科研製薬が開発を申し出て、2019年より国内開発開始

- ▶ 皮膚科領域のアンメットメディカルニーズを満たすことができる薬剤である
- ▶ 開発パイプラインの拡充

適応症

既存治療で効果不十分なアタマジラミ症

病 態

- ▶ 成虫・幼虫は髪の毛にしがみつき、頭皮から吸血する。吸血部はかゆみを生じたり、掻きすぎて頭皮に炎症を起こす
- ▶ 頭同士の接触、タオル・くし・枕・帽子の共用、あるいは 学校・保育園での集団生活 を通じて広がる

治 療

医療用医薬品がない。

市販されている駆除薬（例えばフェノトリン）のパウダーやシャンプーが主流。

パウダーは髪に散布後 1～2 時間おいて洗い流す、シャンプータイプは髪を濡らしてから使い、5 分後に洗い流す方法。ただし、卵（ニット）への効果が弱いため、通常は3日に1回・3～4回繰り返す駆除が推奨。

国内患者数

約83万世帯／年

Naomi S, et al., *Med. Entomol. Zool.*, 60(3), 225-231, 2009.



(出典) 日本皮膚科学会
ひふの病気 アタマジラミ症



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

24

さて、一昨日リリースを出させていただきました、アタマジラミ治療薬の KAR につきまして、まずご紹介させていただきたいと思います。本剤は、北里大学の太田先生がノーベル賞を受賞したということで知られております、イベルメクチンを有効成分とした外用剤でございます。

米国で発売されておりますけれども、日本では開発、発売されておらず、厚生労働省の医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議において、本剤の開発企業が公募されておりました。当社といたしましては、皮膚科領域、このアンメットメディカルニーズを満たし得るそういった薬剤であるということ、また開発パイプラインの拡充にもつながるといったことから開発を申し出て、2019 年より国内開発を開始しました。

アタマジラミにつきましては、こちらにお示ししておりますけれども、最近ではフェノトリン抵抗性のアタマジラミというものが増加しているということがいろいろなところで報告されているということでございます。そこで、当社ではこういった既存治療では効果不十分であるアタマジラミ症にも効くような、そういった薬剤の開発ということで進めていったところでございます。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

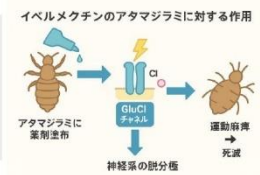
メールアドレス support@scriptsasia.com



KAR：第Ⅲ相試験結果

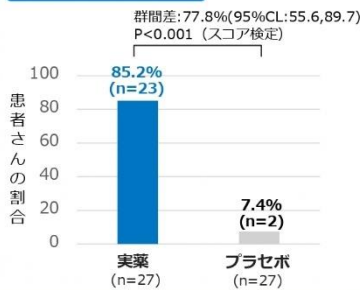
試験概要

対象：既存治療で効果不十分なアタマジラミ症患者
試験デザイン：多施設共同、無作為化比較、二重盲検、プラセボ対照
被験者数：指標被験者 54名（目標被験者数 66名）、全被験者 117名
介入の内容：KAR 0.5% または KAR 0%を規定量、塗布する
主要評価項目：指標被験者の治療成功割合（塗布後3週間、生きているアタマジラミが認められない）



試験結果

有効性



安全性

項目	二重盲検期		非盲検期	
	KAR 0.5% 56名	KAR 0% 61名	実薬→実薬 7名	プラセボ→実薬 55名
有害事象の発現被験者数 n (%)	10 (17.9%)	8 (13.1%)	0	6 (10.9%)
重症度 n (%)				
軽度	10 (100%)	4 (50%)	0	6 (10.9%)
中等度	0	4 (50%)	0	0
重症	0	0	0	0
重篤な有害事象の発現被験者数 n (%)	0	0	0	0
副作用の発現被験者 n (%)	4 (7.1%)	1 (1.6%)	0	0

イベルメクチンが選択的にアタマジラミに効く理由

- 寄生虫には強く、ヒトには弱く結合する選択毒性を持つ
- ヒトにはGluClチャネルが存在しない
- 哺乳類のGABA受容体には低親和性
- 血液脳関門で薬剤が中枢に入らない



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

25

この KAR の第Ⅲ相試験の結果をご紹介します。

試験は既存治療で効果不十分であった患者さんを対象に実施しております。

対象として評価する患者さんは 54 名。その他、ご家族もいらっしゃいますので、そういった患者さんを含めまして、全体で 117 名が参加しています。

結果でございます。主要評価項目であります治療成功割合、虫がいなくなったというような患者さんの割合ですけれども、KAR 群で 85.2%、プラセボ群で 7.4%ということで、有意な差でございました。さらに 1 回の塗布では効果がなかった患者さんにおきまして、2 回目の塗布で全例治療成功となっています。

安全性につきましても、発現した有害事象というのは軽微なもので、重篤な副作用等が認められておりませんでした。これはイベルメクチンの作用機序に基づく選択的特性が臨床でも確認された結果と考えております。

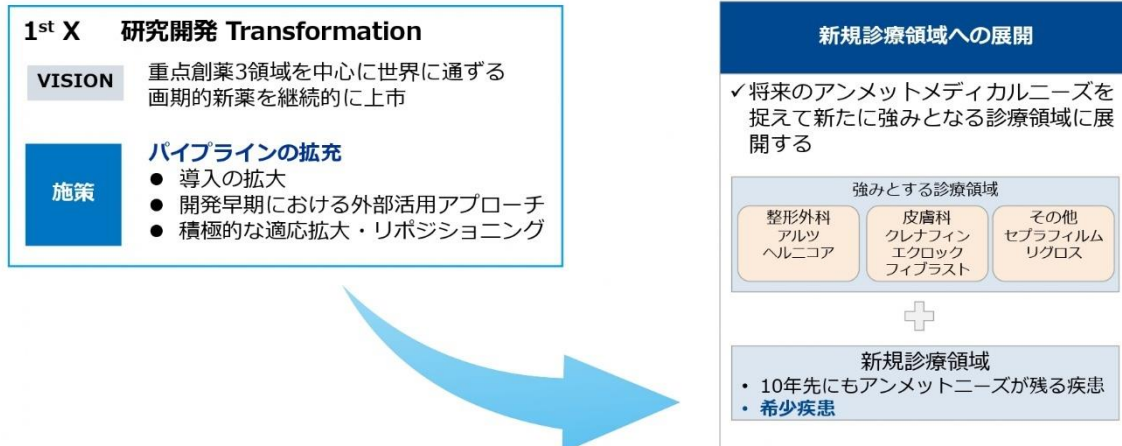
本剤は、本邦初のアタマジラミ症に対します医療用医薬品として承認申請を予定しております。皮膚科領域のアンメットニーズを解決する、そういった製品なのではないかと考えております。

サポート

日本 050-5212-7790
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



1st X 研究開発 Transformation 新規診療領域への展開 ～希少疾患領域の取り組み～



- ▶ ドラッグロス、ドラッグラグを解消し、難病で苦しむ日本の患者さんに貢献
- ▶ 医薬品の安定供給のため、大型自社創薬品上市前までの収益を確実なものにする



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

27

続いて、当社の希少疾患への取り組みについてご説明いたします。

当社は、ドラッグロスやドラッグラグを解消し、難病に苦しむ日本の患者様に新薬を届けるということも使命としております。長期経営計画 2031 でも、パイプライン拡充のために希少疾患領域の導入を明記しているところでございます。

希少疾患領域では、国際共同治験に日本が参加していないような開発品もあり、こちらはドラッグロスのリスクが高い状況でございます。当社はこうした課題を解決するため、積極的に希少疾患治療薬の導入を進めてまいりました。

さらに複数の希少疾患治療薬を有することで、大型自社創薬品上市までの収益基盤を確保し、医薬品の安定供給を実現するという重要な戦略でございます。

このように希少疾患への取り組みは、患者さんへの貢献と企業の持続成長の両面で、当社の成長戦略の柱となっていると考えております。では当社の希少疾患治療薬の状況について、ご説明します

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



KP-001：難治性脈管奇形

適応症

難治性脈管奇形

脈管奇形の内、複数の疾患は小児慢性特定疾患、指定難病

病態

- ▶ 小児期で起こる脈管の異常構造が醜状、出血、痛み、感染などを引き起こす
- ▶ 発症部位によっては**致死的**になり得る

治療

外科的切除や硬化療法が第一選択

出血や発症部位によっては**外科的切除**は困難

シロリムスが2021年9月に**難治性リンパ管疾患**で承認取得

国内外患者数

	日本	米国（人口3.3億人）
静脈奇形（VM）	約20,000人 ^{*1}	33,000～66,000人 ^{*2}
リンパ管奇形（LM）	約10,000人 ^{*1}	20,000～55,000人 ^{*3}
クリッペル・トレノネー症候群（KTS）	約3,000人 ^{*1}	3,000～17,000人 ^{*4}
PIK3CA-related overgrowth spectrum (PROS)	—	4,760人 ^{*5}

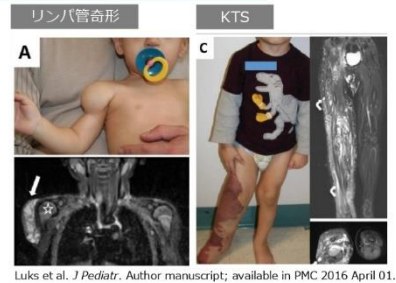
^{*1}：厚労科研三村明彦学調査2014

^{*2}：Behraves S, et al., *Cardiovasc Diagn Ther.*, 2016 Dec; 6(6): 557-569.

^{*3}：Churchill P, et al., *J. Pediatric Surgery*, 46(5): 912-922, 2011.; Acevedo, J.L, et al., *Otolaryngol Head Neck Surg.*, 2008; 138: 418-424.

^{*4}：Lorda-Sanchez I, et al., *Ann Hum Genet.*, 1998; 62(Pt 3): 235-239.

^{*5}：Orphanet



Luks et al. *J Pediatr*. Author manuscript; available in PMC 2016 April 01.



JOHNS HOPKINS MEDICINE HP (静脈奇形 イラスト)



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

28

まず、KP-001 です。

対象疾患は難治性脈管奇形であり、静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群が主な疾患でございます。これらの疾患は、血管やリンパ管の形成異常で、成長などに伴って進行し、自然退縮することがありませんので、生涯にわたる治療また疾患管理が必要となってまいります。国内の患者数は静脈奇形が2万人、リンパ管奇形が1万人、クリッペル・トレノネー症候群が3,000人と報告されております。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



KP-001：国内第Ⅲ相試験（KP-001-301）検証的試験の結果

試験概要

目的	静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群の患者にKP-001を1日1回24週間以上52週間まで投与したときの有効性を、MRI画像に基づく標的病変の奏効を指標に検証する。また、安全性及び薬物動態を検討する
試験デザイン	多施設共同、非対照、非盲検、単群比較試験
介入の内容	KP-001を1日1回朝食後に経口投与する
被験者数	実薬32名
主要評価項目	投与24週後以降の最終評価時点のMRI画像に基づく標的病変の奏効

試験結果(トップライン)

- ▶ 主要評価項目：24週以降の最終評価時点で、MRI標的病変体積20%以上減少の奏効率が事前設定を統計学的に上回った。
 - ▶ 安全性：懸念となる副作用はみられず。また、特定の重篤な免疫関連有害事象の増加もみられなかった。
- ・病変の安定化 → 病変部位の縮小 + 症状コントロール → 生活の質維持／改善が治療目的
 - ・病変の体積だけではなく、症状の改善やQOL、安全性、患者満足など多面的なアウトカムの評価
 - ・小児と慢性化した成人など、その病変の成熟化（fibrotic residual）による有効性への影響

国内長期投与第Ⅲ相試験（JRCT）

52週以上の安全性・有効性を評価する長期投与試験を実施中



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

29

第Ⅲ相試験の結果です。

主要評価項目の24週以降の最終評価時点におきまして、MRIの標的病変体積が20%以上減少した、そういった奏効率が事前に設定しました値を統計学的有意に上回ったということから、主要評価項目を達成したということでございます。安全性におきましても、免疫関連の重篤な副作用というのは見られておりません。

現在、日米の申請をにらみまして、脈管奇形に対する本剤の有効性などといったものにつきまして、さらに深く評価しているところであり、今後、2026年度の承認申請を予定しているところでございます。また、継続投与試験を継続しておりまして、長期的な安全性、それから有効性というのを評価してまいります。

このKP-001につきましては、静脈奇形やリンパ管奇形などの難治性脈管奇形を対象とした自社開発品でございます。国内外での開発というのをさらに加速させていきたいと考えております。

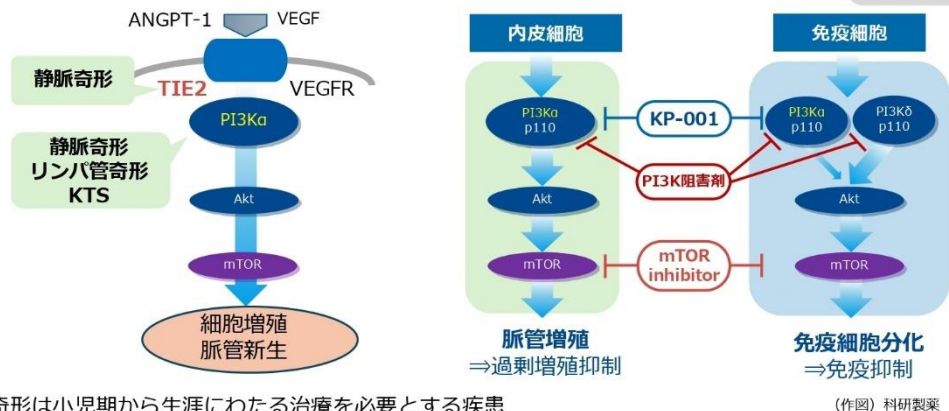
サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



KP-001：作用機序

血管腫・血管奇形の原因となる経路の遺伝子変異およびKP-001の作用点
ホスファチジルイノシトール3-キナーゼα (PI3Kα)



脈管奇形は小児期から生涯にわたる治療を必要とする疾患

- ▶ 経路上流のPI3Kαを選択的に抑制し、免疫抑制プロファイルが軽いことを期待
- ▶ 現時点では特定の重篤な免疫関連有害事象増加は示されず



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

30

こちらは KP-001 の作用機序でございます。

ここは有効性ということよりも安全性に関わるところでございますので、少し説明させていただきたいと思っております。

KP-001、こちらは脈管奇形の原因遺伝子であります PI3Kα、これを阻害することで、過剰な脈管増殖を抑えることができます。さらにこの PI3Kα に対します特異性が非常に高いということから、免疫細胞への作用が弱い、従って、免疫抑制に起因する副作用が少ないということが期待されております。

実際、今回行いました第Ⅲ相試験の結果におきましても、この懸念されておりました重篤な免疫関連有害事象の増加は認められておりません。そういったことから実際にこの理論を裏付ける結果が、臨床でも見られたと考えております。

脈管奇形は小児期から生涯にわたる治療を必要とする疾患でございます。本当に小さいお子様から安心して長期間服用できる、そういった新たな治療薬の開発が望まれています。当社は一日でも早く、この薬剤を患者さんに届けられるように努めていきたいと考えています。

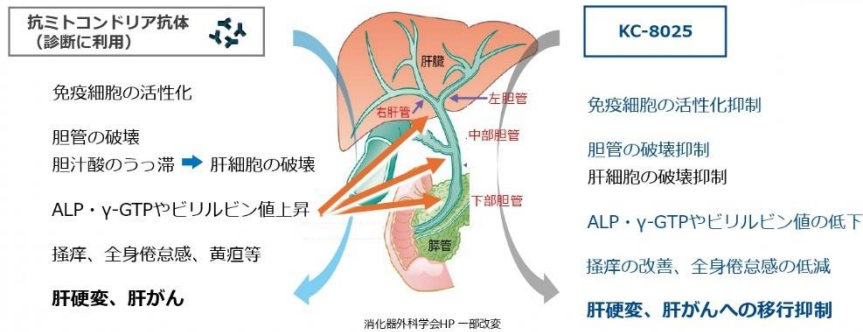
サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



KC-8025：原発性胆汁性胆管炎治療薬

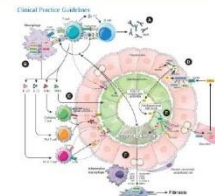
- ▶ 原発性胆汁性胆管炎（PBC） 指定難病
- ▶ 中年以降の女性に多い（男女比1：4）
- ▶ 多くは無症候性、健康診断で見つかる。症候性に転ずると、急速に病態が進行
- ▶ ビリルビン値の上昇に伴い、5年生存率が低下
- ▶ 国内患者数：約37,000人^{*1}
- ▶ 米国患者数：約130,000人 Livdelzi売上：25年Q3 \$105M^{*2}



ペルオキシソーム増殖因子 活性化受容体 (PPAR δ) 作動薬

作用点

- A) NF- κ B, JAKの活性化、慢性炎症
- B) 細胞障害性T細胞の活性化
- C) CYP7A1&2を介した胆汁酸の上昇
- D) 胆管上皮の老化・細胞死に伴う液性因子の産生、線維化



Journal of Hepatology 2017 vol. 67 | 145-172

*1：難治性の肝・胆道疾患に関する研究
(厚生労働省難治性疾患政策研究事業)

*2：Gilead社公表情報
https://s29-q4cdn.com/585078350/files/doc_financials/2025/q3/GILD-Q325-Earnings-Presentation-30-October-2025.pdf



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

31

次に、KC-8025、セラデルパルでございます。

対象疾患の原発性胆汁性胆管炎は、これも指定難病でございます。国内患者数は 37,000 人と報告されております。本疾患は免疫細胞の活性化によりまして慢性炎症を生じます。結果といたしまして、肝臓の中の細い胆管が破壊されていく、そういった病気でございます。

現在の治療の問題点は、第 1 選択薬のウルソデオキシコール酸の不応答患者に対しまして、病態の進行を抑え、また症状の改善が得られるような治療選択肢がないということになります。

本剤はペルオキシソーム増殖因子活性化受容体 δ の作動因子でございます。本疾患の病態形成に関わります多岐のイベントにわたって作用すると考えられており、結果として炎症を抑え、胆管の破壊、肝細胞の破壊を抑制し、主症状を改善させ、最終的には肝硬変や肝がん、そういった移行を抑制することを期待しているところでございます。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



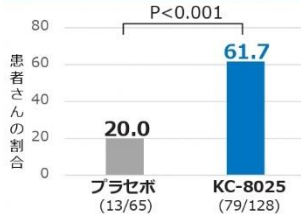
KC-8025 : 国際共同第Ⅲ相試験



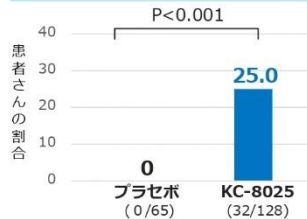
国際共同第Ⅲ相試験結果

2024年8月14日にFDAがSeladelpar(Livdelzi)を原発性胆汁性胆管炎の治療薬として迅速承認取得
- プラセボと比較して、ALP値の正常化、統計的に有意な掻痒スコアの減少を示した初の唯一の治療法 -

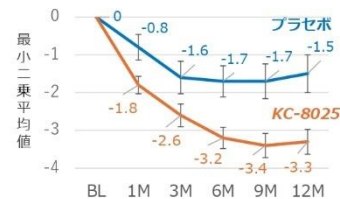
- ▶ ALPが基準値上限の1.67倍未満
- ▶ ALPが15%以上減少
- ▶ 総ビリルビンが基準値上限以下



▶ 投与12カ月後のALPの正常化率



▶ 投与6カ月後のそう痒スコアの変化量 (投与前NRSが4以上の患者群)



A Phase 3 Trial of Seladelpar in Primary Biliary Cholangitis, G.M. Hirschfield and Others, N Engl J Med 2024; 390: 783- 794

国内第Ⅲ相試験状況 2025年10月末に被験者登録完了

- 対 象** : DCA (ウルソデオキシコール酸) で効果不十分、または耐容性がない PBC 患者
試験デザイン : 非対照、非盲検、多施設共同試験
投 与 期 間 : 52週間
主要評価項目 : 複合評価
1. ALP (アルカリフォスファターゼ) が基準値上限 (ULN) の1.67倍未満
 2. ALPがベースラインから最低15%以上減少
 3. 総ビリルビンがULN以下



(出典) Gilead Sciences, Inc.
 -news-details- August 14, 2024
 Gilead Sciences, Inc. - Gilead's Livdelzi
 (Seladelpar) Granted Accelerated Approval for
 Primary Biliary Cholangitis by U.S. FDA



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

32

こちらは米国の状況、それから PⅢの結果をお示ししております。

シーマベイ社、現在ギリアド社でございますけども、2024 年に米国にて販売されております。Livdelzi (リブデルジ) という商品名です。2025 年第 3 クォーターまでのトータルセールスといったしましては、105 ミリオン US ドルと開示されています。スタートダッシュがうまくいったというような話を聞いております。

下には、日本を除きます国際共同第Ⅲ相試験の結果を示しておりますけれども、プラセボと比較いたしまして主要なバイオマーカーであるアルカリフォスファターゼ値の正常化、それから、そう痒スコアの減少を示しております。

本剤の第Ⅲ相試験は、本年 10 月末に症例登録を終了しております。今後、検証的試験をしっかり完了させまして、早期に日本の患者様のもとに届けられるように進めてまいります。

サポート

日本 050-5212-7790
 フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



遺伝性血管性浮腫（HAE）：疾患概要とアンメットニーズ

HAEについて

- ▶ **指定難病**（原発性免疫不全症候群）、国内推定**2,500人**（5万人に1人） HAE-info（一般社団法人 遺伝性血管性浮腫診断コンソーシアム）
- ▶ 多くは**補体C1インヒビター**の遺伝子異常で、**血中C1インヒビター**の欠損・機能低下を生じる
- ▶ 皮膚、消化管、気道などに**反復性の浮腫発作**を引き起こし、**命にかかわる**こともある
- ▶ 症状は通常**24時間で最大**となり、数日で消失

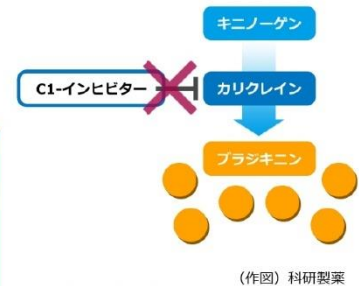
HAE治療のアンメットメディカルニーズ

- ▶ オンデマンド治療薬は**注射剤のみ**
- ▶ 予防薬は**注射部位疼痛や投与頻度の多さ**
- ▶ 発作の**早期予測・モニタリング技術**の不足
- ▶ **QOLへの影響**（発作の不安、社会・職業生活への制限）

HAE治療

- ▶ **発作時治療（オンデマンド）**
C1インヒビター製剤、カリクレイン阻害薬（ecallantide等）、ブラジキニン受容体拮抗薬（icatibant）
- ▶ **発作予防**
C1インヒビター補充療法、カリクレイン阻害薬（lanadelumab、berotralstat など）

遺伝性血管性浮腫（Hereditary angioedema : HAE）診療ガイドライン 改訂 2023 年版



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

33

続きまして、遺伝性血管性浮腫でございます。以下、HAE と言います。これについて説明させていただきます。HAE は希少疾患で、その有病率は5万人に1人とされており、日本にはおよそ2,500人の患者さんがいらっしゃいます。このHAEは遺伝子の変異が原因で、血漿中カリクレインを阻害するC1インヒビターが低下します。そのためにブラジキニンが過剰産生される病気でございます。

本疾患は、体のいたるところに2日間から3日間持続する血管性浮腫と呼ばれる腫れやむくみを繰り返し、胃や腸が腫れると腸閉塞と同様に、嘔吐や強い痛みが生じることがあります。また咽頭付近が腫れますと、これは命に関わる場合があります。

HAEは、その認知度の低さや診断に高度な専門的知識を必要なことから、日本では初めの症状からHAEと診断がつくまで、平均で15.6年間かかるとされています。その間、患者様は、何の疾患か分からない、時には生命の危機をきたすような可能性がある、こういった疾患に苦しんでおります。

治療法は、発作時に使います治療薬と日常的に発作を予防する予防薬がございますが、それぞれこちらにお示ししていますようなアンメットメディカルニーズがあるため、新薬の開発が待たれています。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



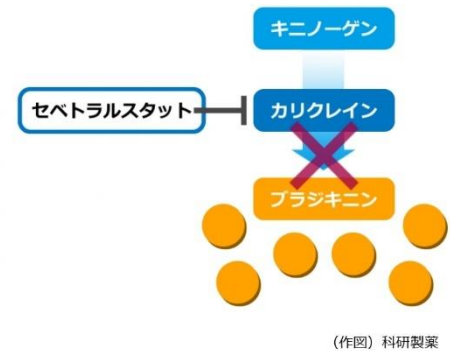
セベトラルスタット：世界初経口HAEオンデマンド治療薬

作用機序 (Mechanism of Action)

- ▶ 血漿カリクレインを選択的に阻害する経口薬
- ▶ 血漿カリクレインの活性化を抑制することで、ブラジキニンの過剰生成を防ぎ、HAE発作の原因となる血管透過性の亢進を抑制
- ▶ 注射剤に代わる経口オンデマンド治療として、患者の利便性向上が期待される

第Ⅲ相試験：KONFIDENT 試験概要

目的	HAE発作に対する初の経口オンデマンド治療薬としての有効性・安全性を評価
試験デザイン	無作為化・二重盲検・クロスオーバー試験
介入の内容	各被験者が300mg、600mg、プラセボをそれぞれの発作時に単回服用
被験者数	12歳以上のHAE患者136名
主要評価項目	症状緩和までの時間（PGI-C）
副次評価項目	発作の重症度、寛解時間、安全性
対象発作	喉頭発作や予防中のブレイクスルー発作も含む全HAE発作



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

34

セベトラルスタットは世界初の経口のオンデマンド治療薬でございます。

活性化しました血漿カリクレインを直接阻害する低分子化合物で、発作時のブラジキニンの過剰産生を抑制いたします。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



セベトラルスタット：第Ⅲ相試験結果（KONFIDENT試験）

Ekterly®
(sebetralstat) tablets 300 mg

有効性

- ▶ **主要評価項目**（症状緩和までの時間）
300mg：中央値1.61時間（95% CI: 1.28–2.27）
600mg：中央値1.79時間（95% CI: 1.33–2.27）
プラセボ：中央値6.72時間（95% CI: 2.33–>12）

▶ 副次評価項目

プラセボと比較して発作重症度軽減までの時間が有意に短縮
プラセボと比較して完全な発作消失までの時間が有意に短縮

安全性

- ▶ 有害事象による中止・重篤な治療関連有害事象なし
- ▶ 副作用発現率：300mg（2.3%）、600mg（2.2%）、プラセボ（4.8%）

KalVista Pharmaceuticals, Inc.Hpより抜粋

ポテンシャル（Potential）

- ▶ 世界初の経口オンデマンド治療薬として、**早期治療を可能とし、患者のQOL向上と治療アクセスの改善**が期待される
- ▶ 迅速な症状緩和により、**発作時の不安軽減**にも寄与
- ▶ 米国FDAおよび欧州医薬品庁（EMA）から**希少疾病用医薬品**の指定を受け、2025年7月に**米国承認取得、英国・EU・スイス・シンガポール・オーストラリアでも承認取得**
- ▶ 本邦においても希少疾病用医薬品に指定。**2025年1月に製造販売承認申請**



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

35

ここにセベトラルスタットの第Ⅲ相試験の概要をお示ししております。

12歳以上の患者様136名が参加されております。主要評価項目は、症状緩和までの時間、それから副次評価項目といたしましては発作の重症度や完全寛解までの時間が評価されております。

結果でございます。主要評価項目に関しましては、症状緩和までの時間、300ミリグラム、600ミリグラム投与群でそれぞれ1.6、1.8時間。プラセボ群の6.7時間に比べて大幅に短縮させております。また、症状の軽減までの時間および発作の完全消失までの時間もプラセボと比較して短縮しております。

安全性につきましては、有害事象における中止や重篤な有害事象等は報告されておりませんで、副作用の発現率も低い水準でございました。

本剤は、初の経口オンデマンド治療薬といたしまして、患者さんの利便性それからQOLの向上に大きく寄与し、HAE治療の在り方を一変する可能性を秘めている新薬として期待しております。日本では、カルビスタ社より本年1月に承認申請されております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com

SCRIPTS
Asia's Meetings, Globally

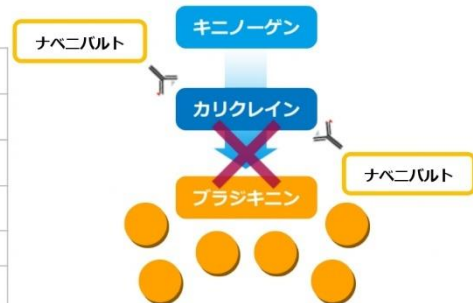
ナベニバルト：HAE予防薬 第Ⅰ/Ⅱ相（ALPHA-STAR）試験結果

作用機序（Mechanism of Action）

- ▶ 抗血漿カリクレインモノクローナル抗体（ヒト化IgG1モノクローナル抗体）
- ▶ FcドメインのYTE変異 → 半減期延長
- ▶ アロステリック阻害 → 血漿カリクレインの高い阻害効果

第Ⅰ/Ⅱ相(ALPHA-STAR)試験の概要

目的	安全性、忍容性、臨床効果、薬物動態、薬力学、および免疫原性を評価する
試験デザイン	多施設オープンラベル試験
介入の内容	ナベニバルトを単回または複数回皮下投与
被験者数	18歳以上のHAE患者29名
主要評価項目	平均月間発作頻度の減少率
対象発作	HAEタイプⅠまたはⅡ（観察期間中に2回以上の発作を経験）



（作図）科研製薬



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

36

ナベニバルトに関しましては、長期作動型の HAE 発作予防薬でございます。

本剤は血漿カリクレインに対しますヒト化モノクローナル抗体で、Fc ドメインに変異を導入することで半減期を延長し、投与間隔を 3 カ月から 6 カ月まで延ばすということが可能となっております。また、アロステリックの阻害によりまして、ダイレクトな阻害では得られないような強力な阻害作用を示しております。

ここに第Ⅰ相、第Ⅱ相試験の概要を示しております。この試験には 18 歳以上の HAE 患者さん 29 名が参加されております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



ナベニバルト：HAE予防薬 第 I / II 相(ALPHA-STAR)試験結果

有効性

6カ月平均

コホート1 (450mg単回投与、n=4)

月間発作頻度の減少率：91%減少
中等度・重度発作の減少率：96%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度：94%減少
発作ゼロの患者の割合：3カ月 50%, 6カ月 25%

コホート2 (600mg→3カ月後に300mg、n=6)

月間発作頻度の減少率：95%減少
中等度・重度発作の減少率：95%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度：94%減少
発作ゼロの患者の割合：6カ月 67%

コホート3 (600mg→1カ月後に600mg、n=6)

月間発作頻度の減少率：92%減少
中等度・重度発作の減少率：96%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度：91%減少
発作ゼロの患者の割合：6カ月 67%

安全性

- ▶ 重篤な治験に関連する有害事象なし
- ▶ 重篤でない治療に関連した有害事象は4件、めまい、一過性の注射部位反応（発疹）、注射部位紅斑、注射部位そう痒

ポテンシャル (Potential)

- ▶ 注射部位疼痛が少ない
- ▶ 投与間隔が3～6ヶ月、投与頻度が少ない



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

38

結果をお示しいたします。

非常に少数例の結果ではございますけれども、全コホートで月間発作頻度、中等度・重症発作の減少率が90%以上、また6カ月間発作ゼロであった患者様の割合は最大で67%でございました。さらに急性期レスキュー薬の使用頻度も大幅に減少しております。

安全性につきましても、重篤な有害事象はなく、忍容性が高いということが示されております。懸念されておりました注射部位反応に関しましては非常に軽微で、投与頻度が少ないといったことから患者様の負担軽減に大きく寄与するものと考えております。

現在、第III相試験を実施中であり、この薬剤につきましてもHAE治療の在り方を大きく変える可能性があると考えております。

当社は、セベトラルスタットとナベニバルトの両剤で、このHAEに苦しむ日本の患者様のアンメットニーズを解決していきたいと考えております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



ESK-001: 乾癬治療における革新的TYK2阻害剤

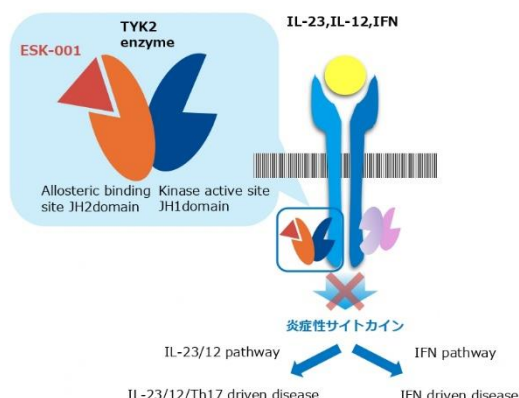
開発企業: Alumis Inc. (米国)
作用機序: TYK2 (チロシンキナーゼ2) を高選択的に阻害
投与形態: 経口投与 (1日2回、改良型1日1回製剤も開発中)

開発状況

- ▶ 中等度～重度の尋常性乾癬 (第Ⅲ相試験)
日本では20以上の実施医療機関が含まれる
- ▶ 全身性エリテマトーデス (SLE) (後期第Ⅱ相試験)

ESK-001は選択性の高い経口アロステリックなTYK2阻害剤

- ▶ ESK-001はTYK2に対して強力かつ本質的に**選択的な阻害剤**
- ▶ ESK-001はTYK2を**アロステリックに阻害**し、
40mg1日2回投与で、**24時間以上**にわたって**最大標的抑制**を維持し、JAK1/2/3を阻害する濃度には到達しない



European Academy of Dermatology & Venereology Congress, September 25-28, 2024, P1004



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

40

その他の導入品についてでございます。

ここでは乾癬治療におけます画期的な TYK2 阻害剤、ESK-001 についてご説明いたします。本剤は TYK2 を高選択的に阻害する経口薬でございます。TYK2 は IL-23、IL-12、インターフェロンなどの自己免疫疾患に関しますサイトカインのシグナル伝達に関わっており、これらを選択的に阻害することで炎症性疾患の病態を改善するものでございます。

この ESK-001 の特徴は、JAK1/2/3 を阻害しない、非常に高い選択性と安全性プロファイルでございます。臨床的にも最大投与量で、JAK 阻害による副作用リスクを回避できるということが確認されております。

現在、中等度から重度の尋常性乾癬を対象といたしました PⅢ試験が進行中で、日本では 20 以上の医療機関が参加しているところでございます。また、全身性エリテマトーデスに対する第Ⅱ相試験を実施中であり、乾癬以外の自己免疫疾患への展開というのも期待されております。

ESK-001 は、経口投与可能な新しい治療選択肢といたしまして、患者さんの利便性向上とアンメットニーズ解消に大きく貢献できると考えております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



ESK-001：乾癬治療における革新的TYK2阻害剤

作用機序 (Mechanism of Action)

- ▶ TYK2 (Tyrosine Kinase 2) に対し本質的な選択性を持つ経口阻害剤
- ▶ TYK2はIL-23、IL-12、Type I IFNなど自己免疫疾患に関与するサイトカインのシグナル伝達に関与

第Ⅱ相試験（尋常性乾癬患者対象）

対 象：中等度～重度の尋常性乾癬患者
投 与：ESK-001を1日2回経口投与（複数用量）
主要評価項目：12週時点でPASI-75到達率が用量依存的に上昇
最大用量群でPASI-75到達率70%以上
奏効率は12週目から24週目にかけて増加し、52週間のOLE試験でPASI奏効率の持続性が観察
OLE試験でPASI-100達成率が39%
有 害 事 象：発作軽度～中等度であり、忍容性良好

ポテンシャル (Potential)

- ▶ 高い選択性と有効性
- ▶ 良好な安全性プロファイル
- ▶ 尋常性乾癬に対する第3相試験が進行中であり、乾癬以外の複数の自己免疫疾患に展開可能



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

41

第Ⅱ相試験では中等度の尋常性乾癬患者を対象に ESK-001 を 1 日 2 回経口投与しております。主要評価項目であります 12 週後の PASI-75 の達成率、これは用量依存的に高くなり、全ての投与群でプラセボ投与群よりも高くなったことを意味しています。さらに奏効率は 12 週から 24 週目にかけて増加し、52 週間のオープンラベル延長試験では、PASI-75 および PASI-100 達成率がそれぞれ 78%、39%と、長期にわたる効果の持続性が確認されております。

安全性につきましても発現した有害事象は軽度から中等度であり、忍容性は良好でございました。

これらの結果から ESK-001 は乾癬治療における新しい選択肢として、また、その他自己免疫疾患全般への展開可能性を持つ画期的な薬剤であると考えております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



市場規模 — 希少疾患 —

疾患	地域	推定患者数	市場規模
脈管奇形	日本	静脈奇形：20,000人 ^{*1} リンパ管奇形：10,000人 ^{*1} KTS：3,000人 ^{*1}	435億円 (290M\$) ^{*7}
	米国	静脈奇形：33,000～66,000人 ^{*2} リンパ管奇形：20,600～55,000人 ^{*3} KTS：3,300～17,000人 ^{*4} (米国人口3.3億人として算出)	1,800億円 (1,200M\$) ^{*7}
遺伝性血管性浮腫 (HAE)	日本	2,500人 ^{*5}	192億円 (128M\$) ^{*8}
原発性胆汁性胆管炎 (PBC)	日本	PBC：37,000人 ^{*6} UDCA不応（PCBの30%）：11,100人 ^{*6}	225億円 (150M\$) ^{*9}

(1ドル=150円換算)

*1：厚生科研三村疫学調査2014

*2：Behraves S, et al., *Cardiovasc Diagn Ther.*, 2016 Dec; 6(6): 557-569.

*3：Churchill P, et al., *J. Pediatric Surgery.*, 46(5), 912-922, 2011.; Acevedo, J.L, et al., *Otolaryngol Head Neck Surg.*, 2008; 138: 418-424.

*4：Lorda-Sanchez I, et al., *Ann Hum Genet.*, 1998; 62(Pt 3): 235-239.

*5：HAE-info（一般社団法人 遺伝血管性浮腫診断コンソーシアム）

*6：難治性の肝・胆道疾患に関する研究（厚生労働省難治性疾患政策研究事業）

*7：Healthcare Services, Arteriovenous Malformations Market Forecast Reaching \$4.1 Billion by 2029 at 7.2% CAGR.

Vascular Malformations Drugs 2025-2033 Trends and Competitor Dynamics: Unlocking Growth Opportunities

*8：Global Hereditary Angioedema Therapeutics Market Size & Outlook, 2030.

*9：Primary Biliary Cholangitis Market Report 2030, STRATEGIC MARKET RESEARCH.

Challenges to Overcome in Primary Biliary Cholangitis Industry Market Growth: Analysis 2025-2033.



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

43

最後に、主な開発品の対象疾患に関する市場規模と申請までのスケジュールをご説明いたします。

推定患者数と市場規模をお示しいたします。まず、希少疾患についてでございます。こちらの表に示していますとおり、脈管奇形は日本で約 33,000 人、米国では最大で約 66,000 人の患者様がいますと推計されております。市場規模は日本で約 435 億円、米国で 1,800 億円と見込まれております。

次に、遺伝性血管性浮腫でございます。日本では推定患者数は 2,500 人と非常に少ない疾患でございますが、市場規模は 192 億円と高い収益性を持つ領域でございます。この市場規模は近年著しく増加しておりますけれども、抗体製剤の出現による影響というのが大きいと考えられております。

最後に、原発性胆汁性胆管炎でございます。日本では約 37,000 人の患者様がいますとされ、市場規模は現時点で 225 億円と推定されているところでございます。この PBC に関しましては、新規作用機序薬というのがずっと出ていない状況でございます。そういったため、その市場規模というのが大きく変動していないと考えられています。

希少疾患治療薬に関しましては、患者さんの数が少ないというものの、アンメットメディカルニーズは高く、また画期的な新薬が上市できれば高い収益性を持つ領域だとわれわれは考えています。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



市場規模

疾患	地域	推定患者数	市場規模
乾癬	日本	乾癬：43万人 ^{*10} 尋常性乾癬（乾癬の90%）：38.7万人 ^{*11}	766.5億円 (511M\$) ^{*17}
アタマジラミ症	日本	アタマジラミ症：171万人 (発生世帯数83万世帯 ^{*12} ×平均世帯人員2.06人 ^{*13}) 既存治療で効果不十分：11.5万人 (171万人×抵抗性アタマジラミ感染割合6.7% ^{*14})	—
全身性エリテマトーデス (SLE)	日本	約6~10万人 ^{*15} SLEとして難病申請：約 6.5万人 ^{*15}	190.5億円 (127M\$) ^{*17}
アトピー性皮膚炎	日本	160.9万人 ^{*16}	993億円 (662M\$) ^{*17}
喘息	日本	185.7万人 ^{*16}	979.5億円 (653M\$) ^{*17}

(1ドル=150円換算)

^{*10} : Kubota K, et al. *BMJ Open.*, 2015; 5(1): e006450.

^{*11} : Kamiya K, et al, *J Dermatol.*, 2023; 50(1): 12-15.

^{*12} : Naomi S, et al., *Med. Entomol. Zool.*, 60(3), 225-231, 2009.

^{*13} : 総務省「住民基本台帳に基づく人口、人口動態及び世帯数（令和7年1月1日現在）」

^{*14} : Shinji K, et al., *J. Med. Entomol.*, 46(1), 2009: 77-82.

^{*15} : 難病情報センターウェブサイト、全身性エリテマトーデス (SLE)（指定難病49）

^{*16} : 厚生労働省 令和5年患者調査

^{*17} : ©DRG [2021] DR/Decision Resources, LLC. All rights reserved. Reproduction, distribution, transmission or publication is prohibited. Reprinted with permission.



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

44

続いて、それ以外の疾患の市場規模についてご説明いたします。

乾癬は日本で約 43 万人の患者様がいますと推定され、市場規模は 766 億円となっています。

全身性エリテマトーデスは日本で約 6 万から 10 万人、市場規模は約 190 億円と推定されます。

アトピー性皮膚炎に関しましては、それから喘息ですね、160 万人、185 万人と、非常に大きな患者さんを抱えておりますけれども、市場規模もこちらに示しているとおり、約 1,000 億円。こちらに関しましてはグローバル展開を視野に入れた重要な領域であるとわれわれは考えています。

それから、アタマジラミ症です。こちらは医療用医薬品が存在しない領域でございまして、市場調査をいろいろしたのですが、データが出てこないという状況でございました。患者様は、過去のアンケート調査、それから 1 世帯当たりの人口を勘案しますと、日本で約 171 万人が罹患していると言われております。既存治療で効果不十分な患者様はそのうち 115,000 人いると言われております。当社が開発を進めるこの KAR に関しましては、こういったアンメットニーズを満たすような製品なのではないかと考えております。

このように希少疾患だけではなくて、患者数や市場規模、こういったものが大きい疾患領域におきましても、当社は革新的な治療薬を提供し、自社創薬品などはグローバルで展開していく、そういったような計画をしております。

サポート

日本 050-5212-7790

フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasia.com



パイプライン進捗予測（タイムライン）



Copyright © KAKEN PHARMACEUTICAL CO., LTD. All Rights Reserved

45

こちらのスライドでは、各開発品の進捗状況をカレンダーイヤーに整理しております。

今後の重要なマイルストーン達成に向けましては、各開発品をしっかりと進捗させてまいります。

まず 2026 年、セベトラルスタット上市を皮切りにして、順次新薬の承認というものを計画しております。

希少疾患や難病を中心といたしました、日本の患者様が必要としている新薬、そういったものをしてしっかりと届けながら、まずは短期的な収益構造を盤石なものとし、将来のグローバルな大型製品の発売につなげてまいります。

また、状況を見据えながら計画的に新たな開発費の導入や、M&A による追加投入、それから技術基盤の取り込み、こういったものも進めていく方針でございます。

このタイムラインにつきましては、当社が描きます成長戦略の中核でございます。2031 年に向けて確実にマイルストーンを達成していく、そういったことを計画しております。

私からは以上でございます。ご清聴ありがとうございました。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasia.com



質疑応答

亀津 [M]：それでは、ただ今より質疑応答に移らせていただきます。初めに会場からご質問を頂戴し、続いて Zoom からのご質問にご回答いたします。

ここで Zoom からのご質問方法をご案内申し上げます。ご質問のある方は、画面下の手を挙げるボタンを押してください。手を挙げていただいた方を指名いたしますので、ミュートを解除いただいた後、会社名とお名前に続きご質問をお願いいたします。途中でご質問を取り消す場合は、手を下ろすボタンを押してください。

それでは初めに、会場からのご質問をお受けいたします。ご質問がございましたら挙手をお願いいたします。では、李様、よろしくお願いいたします。

李氏 [Q]：ありがとうございます。モルガン・スタンレーの李です。本日はありがとうございました。ご質問 2 点お願いします。

1 点目が KP-001、2 点目が KP-723 についてです。KP-001 のアメリカの開発についてです。ノバルティスの VIJOICE（ビジョイス）、そして今回の市場規模をお伺いすると、アメリカはやはり面白そうだなとは感じました。これからアメリカはフェーズⅡをスキップして、フェーズⅢを開始されると理解していますが。脈管奇形というこの疾患、日本人と米国人で人種差などがあるか否か、この点について教えてください。

綿貫 [A]：ご質問ありがとうございます。まず KP-001、米国での開発というのは、李さんご推察のとおりかなと思っております。われわれも非常に大きな市場規模だなと。実際の VIJOICE の発売、その後、売上の推移を見てみますと非常に有望だなと捉えております。

米国と日本の患者さんの違いというところにつきましては、あまり発生率って大きな違いがないような、そういった結果が出ておりますので。恐らく作用機序的にも全く同じものでございます。そういった発生率も同じということで、大きな違いはわれわれないと捉えております。

李氏 [Q]：ありがとうございます。従って、国内のフェーズⅢの結果をアメリカでも同様に期待できると。

綿貫 [A]：ありがとうございます。そのとおりです。われわれもそういうふう期待しております。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



李氏[Q]：ありがとうございます。もう1点フォローアップで。31 ページ、001 といいますが、難治性脈管奇形の患者数を示していただいたと思うのですけれども。特に米国はかなり多いですが。米国もそうですけど、日本など、治療率などあたりするのでしょうか。

綿貫 [M]：治療率、治療している患者様の数ということでしょうか。

李氏 [Q]：恐らく今示していただいている対象患者数だと思うのですが、このうち治療率は5%、10%、そういった数字があればご教示いただきたいです。

綿貫 [A]：アメリカでは、確か静脈奇形か何かで実際受診している、管理している患者さんの数というのが出されておりましたが、その数も大きかったので、今回それが本当かどうかという検証まで至っておりませんので、ここには出しておりません。今後そこら辺が分かるようなデータを調べて、またご紹介したいと思います。

李氏 [Q]：ありがとうございます。期待しています。最後に、KP-723 について、そのポテンシャルをあらためてお伺いしたいです。今週月曜日、火曜日の米国のカイメラ社のデータを見ると、デュピ同等の有効性を示されて、やはり STAT6 は面白そうだなと感じました。一方で、競合も多いというのが私の理解です。

現時点で綿貫さんが考えている KP-723 の差別化要素が何かあるのか、もしくは今後フェーズ1の結果は来年期待できると思うのですが、こういった差別化を期待したいという、そういうヒント、要素があればご教示いただきたいです。私からは以上です。

綿貫 [A]：ありがとうございます。李さん、私も結果を見まして、われわれとしては元気づけられたというか、すごくポジティブに考えております。やはり考えていたコンセプトが、臨床であいいうふうの結果として出てきましたので、より一層 KP-723 の研究、開発に邁進するということをやっていききたいと強く感じております。

特にカイメラ社に関しましては分解剤でございますので、そこら辺の違いが今後どういうものに関わってくるかというところをわれわれしっかり見ていきたいなと思っているところです。例えばタンパク分解剤なので、あまりやりすぎるとコントロール効かなくなってしまう恐れもある。そこら辺は低分子化合物と違うのかなとは考えているのですが。今後、彼らの臨床の結果を見ながら、われわれのほうで差別化というのをしっかりやっていきたいなとは考えております。

李氏 [Q]：ありがとうございます。結構痒みのところをカイメラ社はハイライトされていたのですけれども。今回の KP-723 においても痒み、NRS などがポイントになってくると理解しておけばよろしいでしょうか。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com

綿貫 [A]：あの試験がアトピー性皮膚炎だということもあると考えております。Th2 の依存的なそういった痒みも当然ございますので、ある程度痒みを抑えきる。一方で、依存しない痒みというところについて、それから抑えていけるかというのをもう少し見ていかないと分からないと思います。

李氏 [M]：ありがとうございます。私からは以上です。

亀津 [M]：続きまして、橋口様、よろしくお願いします。

橋口氏 [Q]：大和証券の橋口と申します。私も二つあります。

一つ目が冒頭の堀内様のごあいさつの中で、パイプラインの拡充がまだまだ必要だっておっしゃっていたと思います。その意味をもう少し理解したいのですけれど。

多いに越したことはないという意味なのか、今あるものが仕上がった後のことをおっしゃっているのか。それとも領域として皮膚科は自立しているけど整形が足りないだとか。フェーズⅢは多いけどフェーズⅠは少ないとか。

あるいは、そもそも成功確率と期待売上からしたら、特に全然まだ満足していないという意味なのか。人が余っている、ガジェットが余っている意味だということなのか。いろんなことが考えられると思うのですが、その意図を教えてください。

堀内 [A]：ありがとうございます。簡単にお答えしますと、言葉のあやになってしまうのですが、企業の成長継続に対してはここで終わるってことはないというのが基本的な考え方であって。例えばパイプラインにしても、じゃあこれで終わって、ここから継続的に当社が100年、200年行くかというところということではないですね。常にやはり上市しても次は必要だしということの考え方であって。

10品で終わっているけれど、常に10品パイプラインとして持っていないといけないということは、上市2品すれば2品足さなきゃいけないよねと、そういう考え方で取っていただければいいと思います。バジェット余っているのでもっと買わなきゃねという発想ではないです。なので、そういうふうに継続できるようなバジェットコントロールなり、していかなきゃならないよねという意味も含んでいます。そのような回答でよろしいでしょうか。

橋口氏 [Q]：そういう意味では、当面の研究開発費のご予算ですとか、リソース、人員などのリソースから考えた場合には、パイプラインは結構充実してきているというような理解でいいのでしょうか。

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com

堀内 [A]：現状の当社の規模であつたりいろいろなものを考えれば、それが果たして 20 品目のパイプラインが必要なのかというところを考えた場合に、やはり 10 品目、長期経営計画の中でも出している数、これを常に回していくという考え方が一番いいのではないかなと。

これが、この後もう少し状況が、上市した後良くなっていけば、次もひょっとすると 15 という形で回せるかなと。そういう形で、現状では今のこの段階でいいのかなとは考えておりますが。まだまだそれは続けて、継続していかないといけないという意味合いと捉えていただければと思います。

橋口氏 [Q]：分かりました。ありがとうございます。2 点目は、AI の活用ニーズです。他社に対しての優位性がどこにあるのか、差別化は何なのかというのをお聞きしたいです。

これを使ってらっしゃる分析ツールというのは、他の会社さんもアクセスできるような、ある程度お金を出せば、そういう汎用的なものを使ってらっしゃるのか、何か独自で構築されたようなものが含まれているのか。

もちろん汎用されたものであっても、それをどう使いこなすかというところに経験、ノウハウとかがあって、差別化はできると思うのですけど。どこからが御社の特徴なのかというのを、もう少し詳しくご説明いただけないでしょうか。

綿貫 [M]：原田が新薬創生センター長でございますので、原田から回答させていただきます。

原田 [A]：回答いたします。おっしゃるとおり、プラットフォームはお金さえ出せばどこでも使えるようなものを使っております。ただし、こういった AI というのは、その後教育するデータに依存して成長、変わってくるというところにわれわれ独自のこれまで積み上げてきたデータを活用することで独自性を出していくと。まだ途上ではございますが、そういったオリジナリティの高い形に仕上げていきたいと考えております。

橋口氏 [M]：ありがとうございます。以上です。

亀津 [M]：それでは村岡様、よろしくお願いいたします。

村岡氏 [Q]：モルガン・スタンレー、村岡です。ありがとうございます。

NM81 ですが、左下の臨床論文、二つの抗体の併用投与という論文を見させていただこうと思って。これは論文をさかのぼると、トレムフィアとシンボニーの併用データみたいなのですが。つまり IL-23 と TNF- α の併用。ああ、なるほど、なるほど IBD かと。IL-4、IN31 の組み合わせと、

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com



うまくいったパターンを踏襲しているのかなと。ここを見て思ったのですが、IL-23、TNF- α と考えるのは、誤解はしていないでしょうか。

綿貫 [A]：村岡さん、ありがとうございます。綿貫から回答いたしますけれども、村岡さんは多分お分かりいただけると思いますが、ターゲットは公開できません。すいません。

村岡氏 [Q]：そうなのですが。実は IL-23、トレムフィアとシンボニーの前提で考えると、これはまた全部 Johnson & Johnson なのですね。Johnson & Johnson とのこの先の BD ストラテジーまで考えたら、わくわくするような部分と、またというところがあるのですが。その辺りはどうなのでしょうか。

綿貫 [A]：確かにこれはヤンセンが出した論文でございまして、まだまだ先走り過ぎているかなと思うのですが、まだそういったところでそういった話は出ておりません。

村岡氏 [Q]：分かりました。ありがとうございます。あともう一つだけ、サイエンスの質問をさせていただきます。

STAT6 の件です。先ほど、カイメラ社の薬はプロタックだから、もしタンパク分解しちゃったらそれはサイエンスとして大丈夫みたいな、ああ、なるほどと思ったのですが。

質問は、これは転写因子ですね。確かに転写因子がなくなっちゃうとまずいかなって思うところがあるのですが。ヒトの STAT6 という転写因子は、仮に分解されたら割と速やかに生体内で再合成されるのか。いや、これは結構また量を増やすのに時間がかかるタンパクなので、確かにサイエンス的にもちょっと心配だね、フェーズ 1 のセーフティがすごい良かったけれどもと考えればいいのか。少し教えていただけると助かります。

綿貫 [A]：多分臨床的には今やられているものでしっかり検討されていくとは考えております。非臨床のほうとしては、原田さんのほうで分かっていたら回答してもらいたいと思います。

原田 [A]：時間は定かではないのですが、かなり長い時間消失して、回復しないんだと思います。デグレーダーですと。

村岡氏 [Q]：カイメラ社の長期安全性データはしっかり見ておかないと、今の段階ですごいねって、すごいだけけど。

原田 [A]：そうですね。私として効果はすごく良く、STAT6 阻害の PoC というかに関しては期待を持って見ています。ただ、デグレーダーの安全性という部分に関しては、われわれの化合物との

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

差別化ポイントとして見ていかなきゃいけないかなと、われわれとしては期待している方向で見ていかなきゃいけないかなと思っています。

村岡氏[M]：分かりました。ありがとうございます。以上です。

亀津 [M]：ありがとうございます。それでは前田様、よろしくお願いいたします。

前田氏 [Q]：お世話になっております。野村證券の前田です。2点お願いしたいです。

まず1点目が、アライアンスの話で、7ページ目のところに2021年以降のトランザクションについてまとめていただいたかと思います。この中で、成功も失敗もあったと思うのですが、21年時点でのお考えと、現在のお考えというところで、いろいろなディールに対するお考えというところがどういうふうに変わったのかというところを教えていただきたいなと思います。いろいろあった中で、何が重要だと分かったのかというところですね。まずこちらをお願いいたします。

綿貫[A]：ご質問ありがとうございます。実際に22年からやったことというのが、実はやはり導入品に関して対象を拡大したというところがございます。そこは希少疾患を入れたというところで。実際に検討しますと、やはりそういった疾患に関しては、まだまだわれわれが導入して、しっかり日本の患者さんに届けるということが出来る、そういったものが残っているということがよく分かりました。

それから、例えばESK-001のような、ああいったTYK2阻害剤、そういったものについてもしっかりと交渉していけば、弊社のほうにもそういった話がきちんと来るような状況になっているなどは感じております。

やはり継続的に導入等を行っていることによりまして、そういった話がきちんと入ってくるといった状況が循環し始めたのではないかなと感じています。

前田氏[Q]：ありがとうございます。ガバナンスとか、社内体制的な変化というのは何かあったりしますでしょうか。

堀内 [A]：ありがとうございます。この希少疾病に関しては、一番の転機はアーサム社の買収だったと考えております。ここでやはり自社に希少疾病のものをまず取り入れた、そこからそっちの方面へのある程度の部分が開いていったというのが一つであって。

その後トランザクションをどうするかというところのガバナンスというか、体制的にはやはりそこから希少疾病も含めた導入等に広げるということで、その事業開発であったり、そちらの方面を強

サポート

日本

050-5212-7790

フリーダイヤル

0120-966-744

メールアドレス support@scriptsasias.com

化していったというのは事実です。なので、人間的な部分であったり、いろんな部分の強化を行いました。

最終的に、昨年の例えば海外の導入やの中で希少疾病という一つキーワードにはなってしまうのですが、すけれども、アーディ社のところにも、やっぱりそれはつながっていているのではないかなとは考えております。

なので、特化してこれを行ったという形ではなく、もう少し広げて、多くのところのアンメットに対して当社も進んでいこうというところ、これが今の形につながっていているというご理解をいただければいいかなと思います。

前田氏 [Q]：よく分かりました。2点目で、AI創薬のところですか。11ページ目のところには三つですかね、AIプラットフォーム導入というところで、ロゴを入れていただいていると思うのですが、すけれども。

もしこの三つを、多数あるAIプラットフォームの中から選りすぐって選んできているとすれば、何がその決め手になっているのかというところを教えてくださいませんか。マシンラーニングモデルの違いだったりとか、サービスとしての強みであったりとか、いろいろ考えられるかなと思うのですが、いかがでしょうか。

原田 [A]：原田からお答えいたします。Elix に関しましては、立ち上げから今も一緒にお付き合いさせていただいているのですが、導入を手助けしてもらえるといるところが一番の決め手でした。Chemistry42 に関しましては、当初、Elix のほうは生成AIのモデルがなかったのですが、すけれども、生成AIも欲しいということで、Chemistry42 を一緒に入れたという経緯があります。

加えて、PandaOmics は Omics のほうで必要だということで入れました。他にもいろいろあるのですが、なぜ PandaOmics 選んだかというところに関しましては、はっきり覚えてなくて、今はお答えできません。

前田氏 [M]：よく分かりました。ありがとうございます。私からは以上です。

亀津 [M]：ありがとうございました。それでは質疑応答を終了させていただきます。

それでは、以上をもちまして、科研製薬株式会社、R&D 説明会を終了させていただきます。本日はお忙しい中ご参加いただき、誠にありがとうございました。

[了]

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

脚注

1. 音声不明瞭な箇所に付いては[音声不明瞭]と記載
2. 会話は[Q]は質問、[A]は回答、[M]はそのどちらでもない場合を示す

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com

免責事項

本資料で提供されるコンテンツの信憑性、正確性、完全性、最新性、網羅性、適時性等について、SCRIPTS Asia 株式会社（以下、「当社」という）は一切の瑕疵担保責任及び保証責任を負いません。

本資料または当社及びデータソース先の商標、商号は、当社との個別の書面契約なしでは、いかなる投資商品（価格、リターン、パフォーマンスが、本サービスに基づいている、または連動している投資商品、例えば金融派生商品、仕組商品、投資信託、投資資産等）の情報配信・取引・販売促進・広告宣伝に関連して使用をしてはなりません。

本資料を通じて利用者に提供された情報は、投資に関するアドバイスまたは証券売買の勧誘を目的としておりません。本資料を利用した利用者による一切の行為は、すべて利用者の責任で行っていただきます。かかる利用及び行為の結果についても、利用者が責任を負うものとします。

本資料に関連して利用者が被った損害、損失、費用、並びに、本資料の提供の中断、停止、利用不能、変更及び当社による利用者の情報の削除、利用者の登録の取消し等に関連して利用者が被った損害、損失、費用につき、当社及びデータソース先は賠償又は補償する責任を一切負わないものとします。なお、本項における「損害、損失、費用」には、直接的損害及び通常損害のみならず、逸失利益、事業機会の喪失、データの喪失、事業の中断、その他間接的、特別的、派生的若しくは付随的損害の全てを意味します。

本資料に含まれる全ての著作権等の知的財産権は、特に明示された場合を除いて、当社に帰属します。また、本資料において特に明示された場合を除いて、事前の同意なく、これら著作物等の全部又は一部について、複製、送信、表示、実施、配布（有料・無料を問いません）、ライセンスの付与、変更、事後の使用を目的としての保存、その他の使用をすることはできません。

本資料のコンテンツは、当社によって編集されている可能性があります。

サポート

日本 050-5212-7790
フリーダイヤル 0120-966-744 メールアドレス support@scriptsasias.com