



[登壇者]

5 名

代表取締役社長 COO

滝野 十一（以下、滝野）

広報部長

井村 竜太（以下、井村）

Executive Vice President, Chief Medical Officer

Matthew Sherman（以下、Matt）

Executive Vice President, Global Chief Commercial Officer

Margarida Duarte（以下、Margarida）

Senior Vice President, US Commercial

Michelle DiNapoli（以下、Michelle）

登壇

井村：本日は小野薬品の R&D 説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。

定刻となりましたので、ただ今より会場参加とオンライン参加のハイブリッド形式にて、R&D 説明会を開催させていただきます。

早速ですが、はじめに本日の出席者をご紹介します。

東京会場からは、代表取締役社長 COO の滝野が出席しています。続きまして、2 月に米国で承認された ROMVIMZA をご紹介するべく、米国のボストンから Deciphera の社員 3 名が登壇しております。Executive Vice President, Chief Medical Officer の Matthew Sherman、Executive Vice President, Global Chief Commercial Officer の Margarida Duarte、Senior Vice President, US Commercial, の Michelle DiNapoli です。

Agenda



Opening (9:00-9:10)

代表取締役 社長 COO

Representative Director, President and Chief Operating Officer

滝野 十一
Toichi Takino

ROMVIMZA (9:10-10:05)



Matthew L. Sherman, M.D.
Executive Vice President,
Chief Medical Officer,
Deciphera



Margarida Duarte
Executive Vice President,
Global Chief Commercial Officer,
Deciphera



Michelle DiNapoli
Senior Vice President,
US Commercial,
Deciphera

Q&A Session (10:05-10:30)

2/40

滝野：本日の R&D Day では、この 2 月に米国で上市いたしました ROMVIMZA を中心に、Deciphera の製品群に関して、皆さんに私どものエキサイトメントと期待をぜひ共有したく、開催いたしました。

冒頭お話がありましたように、われわれが買収いたしましたボストンの子会社 Deciphera から、担当の責任者が、ご説明を差し上げるようにしています。

ぜひ皆さん、日頃なかなか私どもでは答え切れないようなところもありますので、そこをご質問いただければと思います。どうぞよろしくお願い申し上げます。

Deciphera社の業績動向



- ・ 2024年6月に買収完了し2024年7月よりP/L連結開始
- ・ 上市済の医薬品「QINLOCK」の販売は堅調に進捗しており、2025年3月期売上は255億円であった。2026年3月期売上は340億円を見込む。
- ・ 2025年2月には腱滑膜巨細胞腫治療薬「ROMVIMZA」の米国での販売を開始。2025年7月を目途にOno Pharma USとDecipheraの機能を統合。2027年度の単年単体黒字化を見込む。

2025年3月期
実績
(2024.7-2025.3)

製品売上：261億円（計画比102.4%）
費用：423億円
-研究開発費 242億円、販管費181億円



2026年3月期
通期予想
(2025.4-2026.3)

製品売上：約400億円
費用：約570億円
-研究開発費 約360億円、販管費 約210億円



業績予想の見通しにおける年間為替レートは1ドル＝145円

4/40

私からは、イントロで数枚説明いたします。

まず、先日の決算発表会でもご紹介しました、Deciphera 単体での業績の動向についてまとめています。

今後は、当社がグローバルスペシャルティファーマを目指すなかで、もともと当社が単独で進めてまいりました米国の子会社、Ono Pharma USA（OPUS）の機能、人員を今年の7月をめぐりに、Deciphera に統合していく予定です。

実際、1剤目の QINLOCK に続き、2剤目の ROMVIMZA が米国で承認され、欧州でも近い将来、また上市できるようになると期待をしております。今のところは順調に両剤とも進捗していると考えております。

今年度は2剤でおよそ400億円程度の売上を見込んでいます。それに加えて米国子会社を統合していくことで、基盤、あるいはプロセス、ガバナンスといったものをさらにしっかり整備していく、大事な年になってくると考えています。

開発パイプライン（オプジーボを除く）



2025年4月24日現在

	Phase 1	Phase 1/2	Phase 2	ピボタル試験	申請・承認
固形がん	ONO-7475 肺がん、EGFR変異陽性NSCLC / P1	DCC-3116 固形がん、悪性腫瘍 / P1/P2	ONO-4578 胃がん、結腸・直腸がん / P2	QINLOCK® GIST2L KIT Exon 11+17/18 / P3	QINLOCK® GIST4L / 40か国以上で承認
	ONO-8250 HER2陽性固形がん / P1	ONO-7427 固形がん / P1/P2			ROMVIMZA™ TGCT / 米国上市
	ONO-7428 固形がん / P1	ONO-4482 悪性黒色腫、肝細胞がん / P1/P2			
	ONO-7914 固形がん / P1	DCC-3084 悪性腫瘍 / P1/P2			
	ONO-7913 肺がん、結腸・直腸がん / P1	DCC-3009 GIST / P1/P2			
	ONO-4578 NSCLC、HER2陰性乳がん / P1				
血液がん/ 血液疾患	ONO-4685 T細胞リンパ腫 / P1		Sapablursen 真性多血症 / P2	Tirabrutinib/ONO-4059 PCNSL / P2	
			Vimseltinib cGVHD / P2		
免疫・ スペシャリティ	ONO-4685 自己免疫疾患/P1			Tirabrutinib /ONO-4059 天疱瘡 / P3	
	ONO-4915 自己免疫疾患/P1			Gel-one 変形性関節症（膝・股関節） / P3	
神経			ONO-2808 多系統萎縮症 / P2	ONO-2017 てんかん強直間代発作、 てんかん部分発作 / P3	
			ONO-1110 帯状疱疹後神経痛 他★ / P2		
			ONO-2020 アルツハイマー型認知症 他※ / P2		

※アルツハイマー型認知症、アルツハイマー型認知症に伴うアジェーション
★帯状疱疹後神経痛、線維筋痛症、ハンナ型間質性膀胱炎、うつ病、社交不安症

5/40

こちらは、時々お示ししているオプジーボを除いた開発パイプラインの一覧です。

黄色のハイライトで示しているところが Deciphera 由来のパイプラインです。

既に上市済みのものも加えまして、フェーズ 1、2 段階にもいくつかあって、期待もしているところ です。こちら後ほど、Chief Medical Officer の Matthew Sherman から簡単に紹介します。

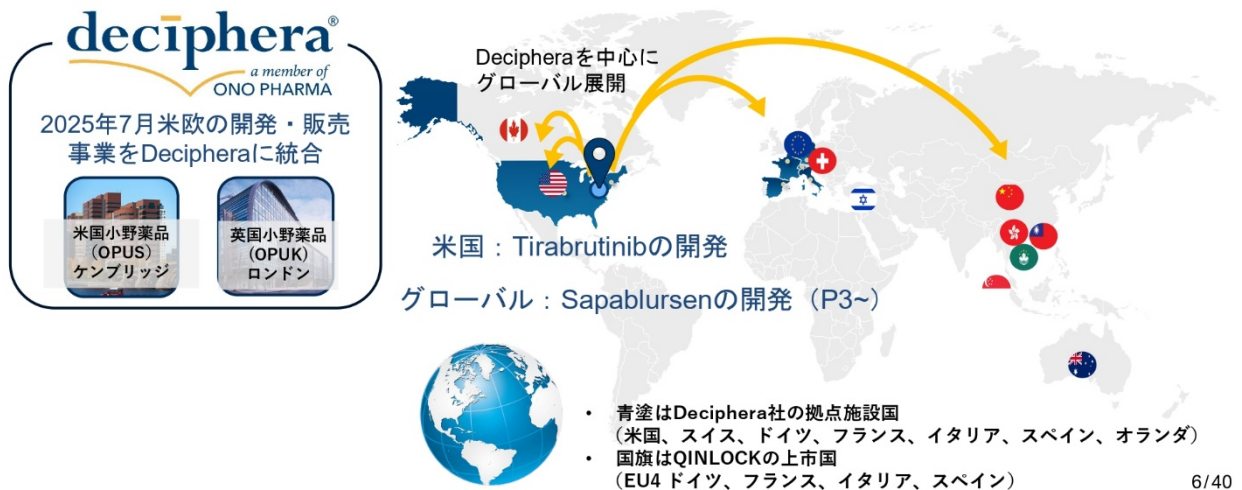
また、今年度中に FDA に承認申請予定の Tirabrutinib（ONO-4059）、そして先日グローバルでの 権利を導入しました、Ionis 社からの Sapablursen につきましても、今後は Deciphera を中心にグ ローバルで開発、販売を進めていくことになります。

そのほか早期ステージの開発プロジェクトに関しましても、グローバルでの臨床試験は Deciphera とともに進めていく予定です。

Decipheraとのシナジー効果



2025年7月米欧の開発・販売事業をDecipheraに統合して、
グローバル展開の販売を推進・加速する



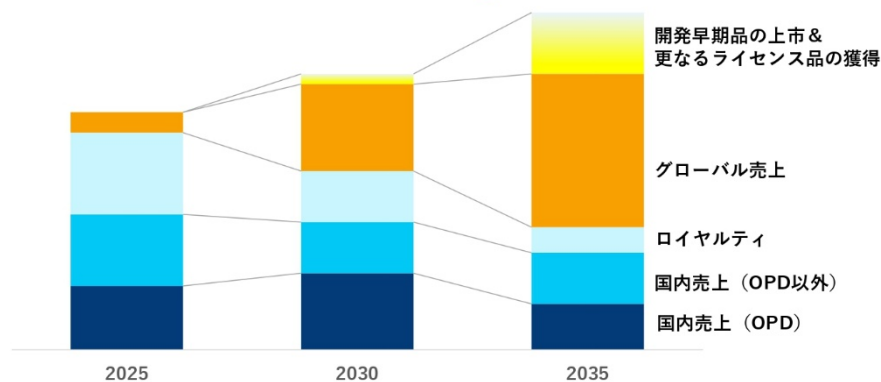
このスライドは、簡単にこれまでお話ししてきたことをまとめたイメージ図です。順調に事業の統合に向けて進んでいるということです。

今後は、繰り返しになりますが、Deciphera を中心として、グローバル展開を加速させてまいりたいと思います。

今後10年の成長イメージ



- + グローバル製品（QINLOCK、ROMVIMZA、VELEXBRU、Sapablursen）の売上拡大 ↗
- + オブジーボの皮下注製剤及び合剤のロイヤルティは静注製剤の特許満了後も継続 ↗
- + ONO-2017、Gel-Oneの国内上市 ↗
- + 自社創製品の上市 ↗
- 2025-2026年にかけて、糖尿病関連製品（フォシーガ、グラクティブ）の特許満了 ↘
- オブジーボの特許満了（2028年米国、2030年欧州、2031年日本） ↘



イメージ図、各製品の実際の売り上げを表しているわけではありません

7/40

こちら、既に決算発表では掲示したスライドですが、当社の今後 10 年の売上の成長イメージを示しています。

今後、当社は糖尿病関連の製品、あるいはオプジーボの特許満了に伴い、売上の減少部分も予想されているものの、Deciphera の 2 製品、QINLOCK、ROMVIMZA に加えまして、VELEXBRU、Sapablursen などの複数のグローバル製品で、売上を加速させていく予定です。

またオプジーボの皮下注製剤に関しましては、米国、欧州で発売されたこともあり、こちらのロイヤルティがその発売から 10 年間、得られる見込みとなりました。

一方、国内市場におきましても、今後、てんかん治療剤 cenobamate (ONO-2017)、あるいは先日提携を発表した、変形性膝関節症の治療剤 Gel-One などの薬剤も、成長に貢献してくると期待しています。

もちろん自社開発品である多くの化合物、例えば ONO-2020、ONO-1110、ONO-4578 など、いくつも楽しみなものがございます。これらを成功させていくことで、全体的には次の成長フェーズにつないでいけるものと考えております。加えて、ライセンス導入に関しましても従来どおり、積極的に取り組んでまいること、パイプラインの強化にも引き続き尽力してまいります。

ではこの図のオレンジ色の部分の拡大、推進を担っている Deciphera の担当責任者から、ROMVIMZA を中心にプレゼンテーションをさせていただきたいと思いますので、バトンを渡したいと思います。

井村：続いて、まず開発の責任者の Matthew Sherman からお話しいたします。

Matt：本日はご参加いただき、ありがとうございます。Matt と申します。Chief Medical Officer をやっております。本日は Global Chief Commercial Officer の Margarida Duarte と、US Commercial の Michelle DiNapoli が同席しております。

Tenosynovial Giant Cell Tumor: A Locally Aggressive Tumor Associated with Substantial Morbidity



DIAGNOSIS AND PATIENT BURDEN

- Long path to diagnosis
- High disease burden
- Severe pain
- Limited function
- Swelling
- Stiffness



UNMET NEED

- Existing Product: Black box warning and Risk Evaluation and Mitigation Strategy (REMS) program due to hepatotoxicity risks; rejected by EMA
- Unmet need remains for effective CSF1R inhibitor with favorable safety profile

Ankle image courtesy of Tap WD, et al. ASCO 2018, abstract 11502. Knee image courtesy of Tap WD, et al. N Engl J Med. 2015;373:428-437.
Notes: CSF1R=colony-stimulating factor 1 receptor, EMA=European Medicines Agency, TGCT=tenosynovial giant cell tumor

9/40

最初に、腱滑膜巨細胞腫、TGCT と、当社が新たに承認を受けました医薬品 ROMVIMZA について、ご説明をします。TGCT は激しい痛みとか腫れとか、こわばり、そして運動機能の喪失を伴う、難治性の慢性疾患であります。患者の日常の生活や生活の質、また特に就労や自立した生活を送る能力に、重大な制限を及ぼすような可能性があります。

TGCT の患者さんの多くは 30 代、40 代、または 50 代で診断され、通常は平均的な寿命を期待できますが、有効な治療法がない場合は、この疾患は患者さんが日常において活発で健康な生活を送る能力に、重大な影響を及ぼす可能性があります。

Significant Unmet Medical Need

- TGCT is a locally aggressive tumor with substantial morbidity including severe pain, limited function, swelling, and stiffness
- Many patients are not amenable to surgery or have disease recurrence after one or more surgeries
- ROMVIMZA (vimseltinib) is the first FDA approved therapy without a black box or a REMS program
- No approved therapies yet in Europe



The impact is huge. You get really limited by the tumor....What bothers me the most are the pain symptoms...You continuously take pain meds to fight the pain.

— TGCT patient



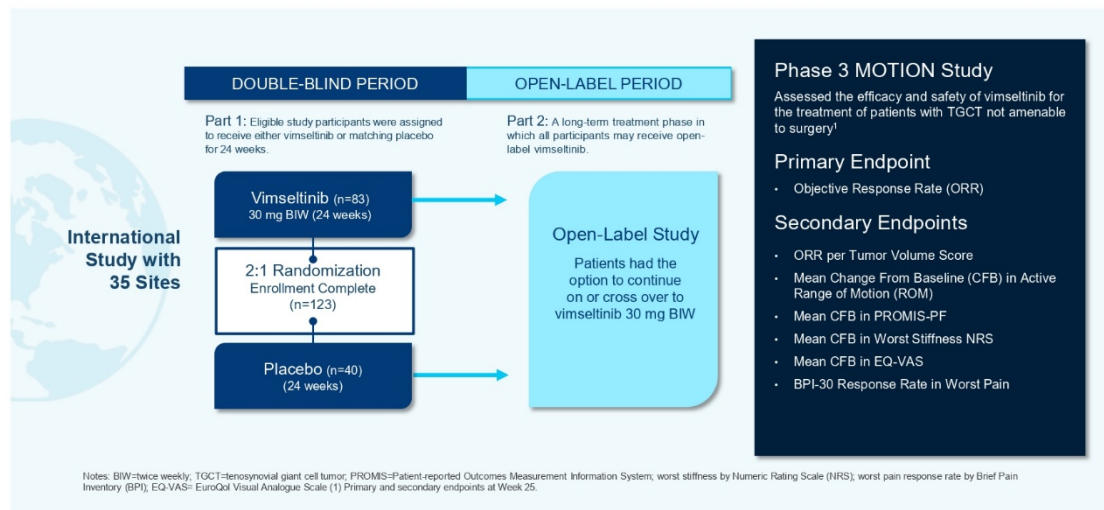
Notes: FDA=U.S. Food and Drug Administration; REMS=Risk Evaluation and Mitigation Strategies; TGCT=tenosynovial giant cell tumor

10/40

TGCT は患者さんの生活に重大な影響を及ぼしますが、依然として重大なアンメットニーズが存在しております。多くの患者さんにとって手術は選択肢となり得ず、手術を受けた方でも病気の再発を経験する可能性があります。

こうした手術は長期、かつ痛みを伴う回復期間のリスクを伴います。深刻な障害を起こす可能性もございます。

ROMVIMZA は TGCT に対する FDA に承認された治療法として、ブラックボックスの警告や REMS のプログラムを必要としない初めての薬剤です。また現在、ヨーロッパでは TGCT に対する承認された治療法が存在しないため、治療のギャップが依然として存在しています。

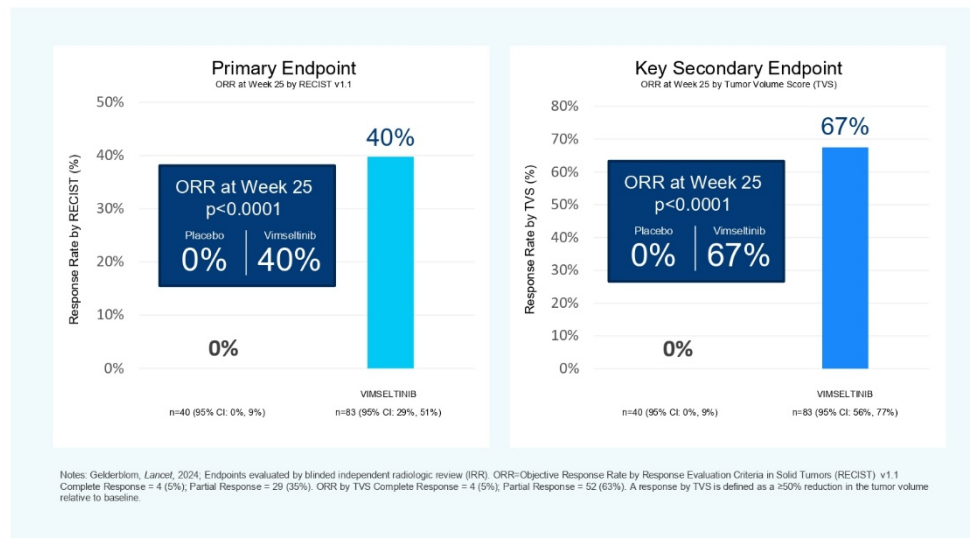


11/40

FDA 承認の製品ラベルを指示するデータを検索するために、少し説明いたします。

フェーズ3のMOTION試験は、手術が適さないTGCTの患者さんにおける、ROMVIMZAの有効性と安全性を評価するために設計されました。123名の患者が2対1の割合でROMVIMZA、またはプラセボにランダムに割り当てられました。

本研究の主要評価項目は、25週時点で、プラセボを対照とした客観的な奏効率ORRでした。ORRに加えて、MOTION試験では全体的な有効性の評価に不可欠な、複数の主要な副次評価項目を評価しています。こうした患者さんの症状や機能の評価指標は、治療方針の決定にきわめて重要な役割を果たしまして、TGCTの治療を開始し、継続する患者さんの意欲にも影響を与えます。



12/40

2023年10月ですが、当社は MOTION 試験で ROMVIMZA が主要評価項目を達成し、25 週時点の奏効率（ORR）においてプラセボと比較して、統計学的に有意、かつ臨床的に意味のある改善を示したと報告いたしました。

左の図では、ROMVIMZA の奏効率は 40%でした。プラセボは 0%です。そして p 値に関しては 0.0001 未満の非常に高い優位性を示しました。

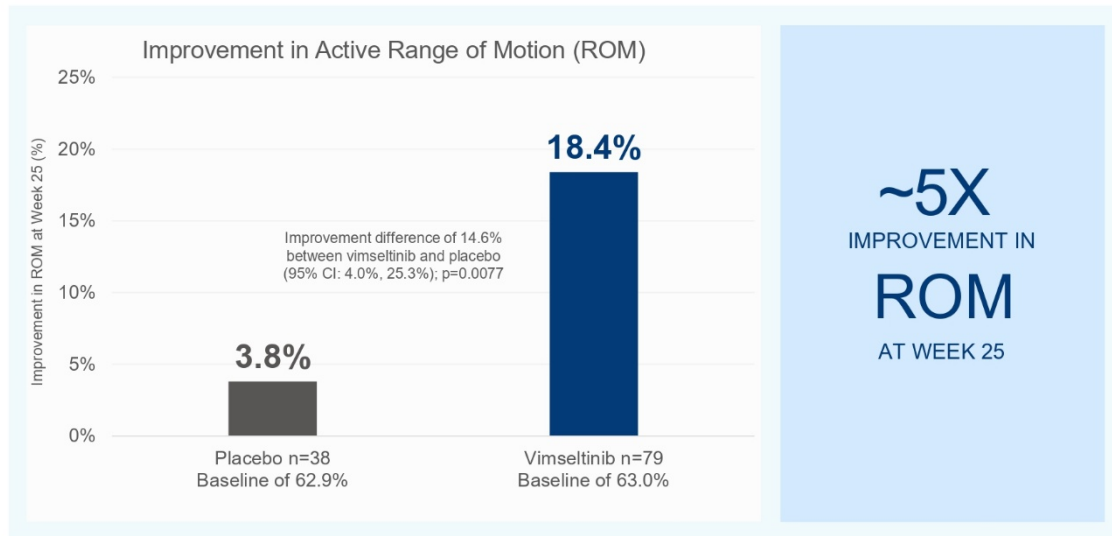
ROMVIMZA は腫瘍体積スコアであるとか、可動域、肢体機能、こわばり、生活の質と、および最も強い痛みの反応を持つ六つの主要な副次評価項目を、全てにおいて著しい改善を示しました。

これらの結果はプラセボと比較して臨床的に有用であり、統計学的にきわめて有意でありました。主要な副次評価項目である、腫瘍体積スコアによる奏効率において、ROMVIMZA はプラセボの 0%に対し、67%の奏効率を示しています。

これらの印象的なデータを踏まえまして、ROMVIMZA が FDA の承認を取得し、必要とする患者さんにご提供できることを大変嬉しく思っております。

ROMVIMZA™ | PHASE 3 MOTION STUDY OF PATIENTS WITH TGCT

Key Secondary Endpoint: Active Range of Motion



Notes: Gelderblom, *Lancet*, 2024; n=number of patients with a baseline ROM value. Active ROM is measured for the affected joint as a percentage of a normal reference range as defined by the American Medical Association. The mean change from baseline at Week 25 was compared between the two treatment arms.

13/40

TGCT は、患者さんの可動域に著しい影響を与える可能性があります。

ROMVIMZA は投与した患者さんにおいて、25 週時点でプラセボ群と比較して自動的可動域の 5 倍、改善したことは、大変喜ばしい結果でありました。ROMVIMZA の治療を受けた患者さんでは、18.4%の改善が認められたのに対し、プラセボ群では 3.8%となっています。

ROMVIMZA Provided Statistically Significant and Clinically Meaningful Improvements Versus Placebo



At week 25	Vimseltinib n = 83	Placebo n = 40	P-value	Statistically significant	Clinically meaningful
Active Range of Motion					
% Mean change from baseline (SE)	18.4 (6.5)	3.8 (7.2)		✓	✓
% Difference (95% CI), P-value	14.6 (4.0 to 25.3)		P = 0.0077		
PROMIS-Physical Function					
Mean change from baseline (SE)	4.6 (1.0)	1.3 (0.9)		✓	✓
Difference (95% CI), P-value	3.3 (1.4 to 5.2)		P = 0.0007		
Worst stiffness Numeric Rating Scale					
Mean change from baseline (SE)	-2.1 (0.2)	-0.3 (0.3)		✓	✓
Difference (95% CI), P-value	-1.8 (-2.5 to -1.1)		P <0.0001		
EQ-Visual Analogue Scale					
Mean change from baseline (SE)	13.5 (2.4)	6.1 (2.9)		✓	✓
Difference (95% CI), P-value	7.4 (1.4 to 13.4)		P = 0.0155		
BPI worst pain					
n (% Response rate ^a)	40 (48)	9 (23)		✓	✓
% Difference (95% CI), P-value ^b	26 (4 to 42)		P = 0.0056		

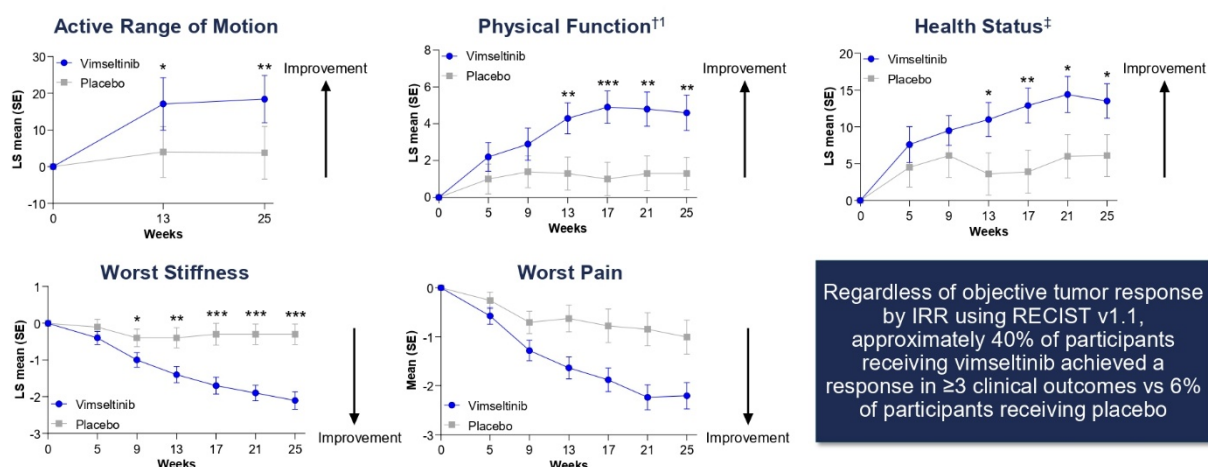
Notes: Gelderblom, *Lancet*, 2024; ^aResponder: Experienced at least a 30% decrease in mean BPI worst pain and did not experience a 30% or greater increase in narcotic analgesic use. ^bAn unstratified exact CI was utilized. BPI= Brief Pain Inventory; CI= confidence interval; EQ-VAS= EuroQol Visual Analogue Scale; PROMIS-PF= Patient-Reported Outcomes Information System Physical Function; ROM= range of motion; SE= standard error

14/40

25 週時点の 2 次評価項目において、ROMVIMZA はプラセボを上回る効果を示しています。

これらの改善は、統計学的に有意、かつ臨床的に意味のあるものである点に注意が必要です。

ROMVIMZA Provided Statistically Significant and Clinically Meaningful Improvements Versus Placebo



Notes: Gelderblom, *Lancet*, 2024; Data cutoff: August 22, 2023. *P < 0.05; **P < 0.01; ***P < 0.001. †† Physical function as assessed by PROMIS-PF (TGCT specific). ‡ Health status as assessed by EQ-VAS. 1) Gelhorn HL, et al. *J Patient Rep Outcomes*. 2019;3:6. BPI= brief pain inventory; EQ-VAS= EuroQol Visual Analogue Scale; IRR= independent radiological review; LS= least squares; PROMIS-PF= Patient-Reported Outcomes Measurement Information System Physical Function; RECIST v1.1= Response Evaluation Criteria in Solid Tumors version 1.1; ROM= range of motion; SD= standard deviation; SE= standard error; TGCT= tenosynovial giant cell tumor.

15/40

これらの2次評価項目における改善は、さらにここで示されています。

客観的腫瘍奏功の有無にかかわらず、ROMVIMZAを投与された患者の40%以上が、三つ以上の臨床的アウトカム評価で奏効を示したのに対して、プラセボのほうでは6%でありました。

ROMVIMZA Was Generally Well Tolerated with Few Discontinuations Due to Treatment Emergent Adverse Events



TEAEs in ≥15% of participants in either treatment arm	Vimseltinib n = 83		Placebo n = 39 ^a	
Preferred term, n (%)	All grades	Grade 3/4	All grades	Grade 3/4
Periorbital edema	37 (45)	3 (4)	5 (13)	0
Fatigue	27 (33)	0	6 (15)	0
Face edema	26 (31)	1 (1)	3 (8)	0
Pruritus	24 (29)	2 (2)	3 (8)	0
Headache	23 (28)	1 (1)	10 (26)	0
Asthenia	22 (27)	1 (1)	9 (23)	1 (3)
Nausea	21 (25)	0	8 (21)	1 (3)
Blood CPK increased	20 (24)	8 (10)	0	0
AST increased	19 (23)	0	1 (3)	0
Arthralgia	16 (19)	0	6 (15)	1 (3)
Rash	16 (19)	0	2 (5)	0
Rash maculopapular	16 (19)	1 (1)	0	0
Edema peripheral	15 (18)	0	3 (8)	0
Hypertension	14 (17)	4 (5)	4 (10)	1 (3)
Diarrhea	10 (12)	0	8 (21)	1 (3)

- Most TEAEs were Grade 1/2
- Serum enzyme elevations were consistent with the known mechanism of action of CSF1R inhibitors^{1,2}
- TEAEs led to treatment discontinuation in 6% of participants receiving vimseltinib^b
- There was no evidence of cholestatic hepatotoxicity, drug-induced liver injury, or hair/skin hypopigmentation

Notes: Gelderblom, *Lancet*, 2024. ^aOne participant randomized to placebo never received treatment. ^bReflects treatment discontinuations at data cutoff; AEs are attributed to part 1 or part 2 based on AE start date and may have occurred in part 2 for some participants. 1) Pogran F, et al. *Curr Res Toxicol*. 2022;3:100091. 2) Radi ZA, et al. *Am J Pathol*. 2011;178(1):240-7. AE= adverse event; AST= aspartate aminotransferase; CSF1R= colony-stimulating factor 1 receptor; CPK= creatine phosphokinase; TEAE= treatment-emergent AE.

16/40

治療中に発生した最も一般的な有害事象は、通常グレード 1、2 でありました。患者全体の 5%を超える患者で発生した唯一のグレードの 3、または 4 の事象は CPK 値の上昇でありました。

この CSF1 の受容体阻害の既知の効果と一致しまして、血中酵素の増加が観察される点に注意が必要です。CSF1 の受容体阻害は、肝臓のマクロファージ由来のクッカー細胞が、これらの酵素を貪食する能力に影響を及ぼし、その結果、血液中の酵素レベルの上昇があるわけです。

この観察結果は、TURALIO で報告された胆汁うっ滞性肝毒性とは異なります。MOTION 試験、およびフェーズ 1、2 の試験においても、肝毒性は観察されていません。ROMVIMZA では治療関連有害事象により治療を中止した患者は 6%でありました。さらに薬剤における肝障害や毛髪、あるいは皮膚の脱、色素沈着といった例は認められませんでした。

MOTION Primary Results Demonstrated the Clinical and Functional Benefits of ROMVIMZA in Participants with TGCT



PIVOTAL PHASE 3 MOTION STUDY

Met its primary and all key secondary endpoints and demonstrated a well-tolerated safety profile

Primary Endpoint ORR at Week 25

- **40%** for ROMVIMZA vs. **0%** for placebo ($p < 0.0001$) ORR by RECIST v1.1

Key Secondary Endpoints

Statistically significant and clinically meaningful improvement across all key secondary endpoints, including:

- **67%** for ROMVIMZA vs. **0%** for placebo ($p < 0.0001$) ORR by Tumor Volume Score
- **~5X** improvement in active range of motion vs. placebo ($p = 0.0077$)

ROMVIMZA was well-tolerated and the safety profile was consistent with previously disclosed data with no evidence of cholestatic hepatotoxicity, leading to no black box warning from the FDA

Notes: Gelderblom, Lancet, 2024; IRR= independent radiological review; RECIST v1.1= Response Evaluation Criteria in Solid Tumors version 1.1; TGCT= tenosynovial giant cell tumor

17/40

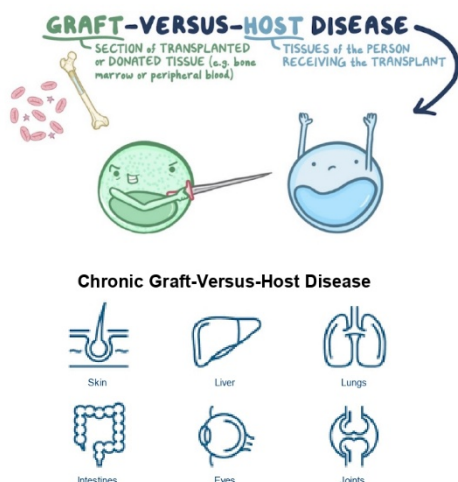
要約すると、ROMVIMZA は MOTION 試験の主要なエンドポイント、および主要な副次エンドポイントにおいて、卓越した結果を示しています。TGCT の患者さんにおける臨床的、および機能的な利益を証明しました。さらに同品は良好な忍容性を示していますし、安全性プロファイルは以前に開示されたデータと一致しています。

先ほど述べましたように、本剤に関しては TURALIO で観察された胆汁うっ滞性肝毒性の証拠は認められませんでした。既存治療薬とは異なりまして、同剤に関して、ブラックボックス警告は付いておりません。

これらの結果に基づき、当社は ROMVIMZA が、TGCT の患者さんにおける新たな標準治療となる可能性を有すると考えております。

ROMVIMZA™ | CGVHD

New Growth Opportunity in Chronic Graft vs. Host Disease



- As an oral agent, ROMVIMZA may offer best-in-class CSF1R option as single agent or in combination with other oral cGVHD therapies
- Chronic GVHD affects 30-50% of allogeneic hematopoietic cell transplant recipients (14,000 U.S. prevalence)
- Significant unmet medical need in steroid refractory patients (~50%); movement toward combination therapy
- ROMVIMZA single-agent Phase 2 study in cGVHD initiated in 4Q 2024 and ongoing

Notes: cGVHD=chronic graft versus host disease; (1) Deciphera market research; (2) Phase 2 study conditional and subject to FDA approval. Figures: Osmosis.org 2022; National Cancer Institute, 2021.

18/40

次に、ROMVIMZA にとって興奮すべき追加の機会であり、慢性移植片対宿主病（慢性 GVHD）について説明します。

この慢性 GVHD は、同種造血細胞移植を受けた患者さんの 30 から 50%で発症しまして、アメリカでは 1 万 4,000 人といわれております。ここにもアンメットニーズがあります。ステロイド治療に反応しないからであります。

経口剤として、当社は ROMVIMZA 単剤療法、またはほかの経口療法との併用療法として、CSF1 受容体治療のベストインプラクティスの治療選択肢となる可能性があると感じております。

当社は昨年第 4 四半期に、慢性 GVHD 患者を対象とした ROMVIMZA の単剤療法に関する第 2 相試験を開始し、現在患者さんの募集を積極的に進めております。ご覧のとおり、ROMVIMZA は TGCT、および慢性 GVHD において、多くの期待を寄せられております。

では続いて、Global Chief Commercial Officer の Margarida Duarte にバトンタッチし、TGCT の市場の活況と、商業的機会について説明します。

Deciphera Is at a Major Inflection Point



Becoming a multiproduct company

QINLOCK approved in >40 countries for GIST and ROMVIMZA recently approved in the US for TGCT



High unmet need in TCGT

Locally aggressive tumor with substantial morbidity and an unaddressed market



ROMVIMZA efficacy and safety profile

Differentiated profile and potential for market growth



Leading commercial capabilities

Highly synergistic opportunities between GIST and TGCT

20/40

Margarida : 次に TGCT 市場の概要と期待について説明をし、その後、Michelle DiNapoli に米国での ROMVIMZA の最近の販売に関する詳細を共有してもらいたいと思います。

Deciphera では、私たちは今組織として大きな転換点に立っており、そして最大限の功績を発揮していると誇りを持って申し上げます。

最近、複数の製品を持つ会社になりました。QINLOCK は 3 つの TKI 後の GIST の治療薬として、40 カ国以上で承認をされており、ROMVIMZA は現在アメリカで承認をされています。そしてまた欧州の医薬品庁でもレビューされています。また情報が追加されましたら、皆さんにご報告することを楽しみにしています。

Matt から今ありましたように、TGCT には大きなアンメットメディカルニーズがあります。今ある治療の選択肢では満たされていません。ROMVIMZA が FDA に承認されると、この治療薬の秘める大きな可能性が解き放たれ、この慢性、かつ日常生活に支障を来す症状に苦しむ患者さんに、本当に意味のある影響を与えることができるようになります。

ROMVIMZA の臨床プロファイルを見ると、なぜその可能性にこんなにも私たちがエキサイトしているかをお分かりいただけるのではないかと思います。このプロファイルは、とても説得力があります。差別化された製品で、患者さんに示された有用性から、マーケットシェアを取れるポジションにあり、また市場も成長しています。TGCT の患者さんに大きなインパクトを与えるものと信じています。

もちろん、これを可能にしてくれたのは全身全霊をささげて取り組んでくれたチームのおかげです。このチームは、信じ難い高いモチベーションをもって、ROMVIMZA を患者さんにとどけ、そして QINLOCK の成功に続こうと取り組んでいます。Deciphera は本当に今、エキサイティングなときにあります。

Building on Our Success with QINLOCK



Complementary Commercial Opportunities

- Established relationships with physicians who treat GIST and TGCT
- 70%-80% overlap in US prescribing physicians for GIST and TGCT
- MOTION study deployed in major sarcoma sites across the globe

21/40

既に QINLOCK で達成した成功の上にさらに成功を続けるため、Deciphera は今、非常に良いポジションにいます。複数の成長ドライバーが継続的に進捗しています。

ROMVIMZA の上市に向け、われわれは多くの腫瘍専門医と仕事をしていますが、彼らの多くは QINLOCK を上市してから過去 5 年間、われわれと一緒に仕事をしてきた腫瘍専門医と同じ人たちで、GIST と TGCT で処方をする医師は同じ医師であることが多いのです。

既知の腫瘍専門医とオーバーラップしていることで、われわれのアプローチをほかにないかたちで、合理的に進めることができます。資本効率の高いコマーシャルフットプリントを含む複数の利点を提供し、上市の時点で鍵となる処方者との強い関係を活用することができます。

Significant Opportunity to Benefit Patients with TGCT



Notes: TAM=total addressable market; (1) Deciphera internal analysis of U.S. claims data; eligible patients defined as diagnosed, Rx-treated, and recently engaged with a medical oncologist (or a surgeon); claims data span 2012-2022; estimates shown are for 2022; prevalent estimate includes incident patients; estimates are inherently uncertain; (2) Total addressable market calculated as estimated Rx-treated patient incidence x 24 months duration x current pexidartinib WAC price and assumes opportunity at steady state; (3) Mastboom et al. Acta Orthopaedica. 2017;88(6):688-694

22/40

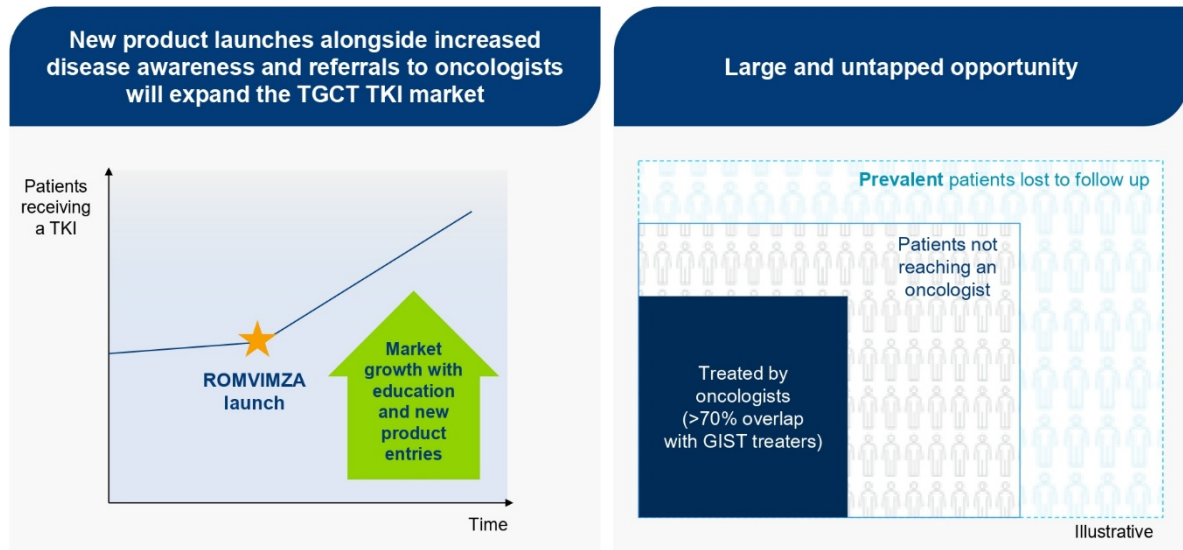
TGCT の患者さんに大きな利益をもたらすチャンスがあり、私たちはそれを最大限に活用して治療の標準を変えるための非常に良い位置にいると考えています。現在の最優先事項は、米国での ROMVIMZA の成功した発売を実現することであり、FDA 承認後の数ヶ月間で見られる成果に非常に期待しています。

このチャンスを活かすためには、TGCT の患者さんの治療過程と市場の状況を深く理解することが重要です。発売時のターゲットは、全身療法で診断・治療され、腫瘍専門医の診察を受けている約 1,400 人の新規の患者さんと 9,000 人の既存の患者さんです。

この主要な患者グループは大きな市場を形成していますが、可能性はさらに広がります。約 1,400 人の新規患者だけを基に、米国での市場機会は 7 億ドルと見込んでいます。

この中心的な機会に加えて、将来的な成長のための大きな可能性がまだまだあると思っています。具体的には、まだ腫瘍専門医にかかっていない患者さんや、ヨーロッパでの展開です。ヨーロッパでは、TGCT に対する承認された治療法がまだないので、そこにもチャンスがあると期待しています。

Untapped Opportunity – Market Expansion Expected



23/40

要するに、TGCT にはまだ活用されていない大きな機会があり、ROMVIMZA の優れた臨床プロファイル、差別化されたラベル、そして献身的で才能あるチームのおかげで、それを開拓できると信じています。この可能性を実現するためには、患者層における主要な課題に取り組む必要があります。現在、腫瘍専門医に診てもらっている患者さんは一部に過ぎず、多くの方がフォローアップを逃したり、成功しない手術や痛み止めのサイクルに陥ったりしています。

認知度と教育をさらに進め、ROMVIMZA の発売と他の製品の将来的な発売により、TGCT の治療のために腫瘍専門医と関わる患者さんの数を増やし、最終的には TKI で治療されるようにします。この変化は、今後数年間で TGCT の治療環境を変革する大きな機会を示しており、長年解決策を待ち望んでいた患者さんにとって大きな利益となります。

それでは、ROMVIMZA の米国での商業発売について Michelle DiNapoli に話を引き継ぎます。

Launched February 14, 2025

INDICATIONS AND USAGE

ROMVIMZA is indicated for treatment of adult patients with symptomatic tenosynovial giant cell tumor (TGCT) for which surgical resection will potentially cause worsening functional limitation or severe morbidity.



25/40

Michelle : ROMVIMZA が最近 FDA で承認されたことは、大きなマイルストーンです。TGCT の患者さんの新しい治療の選択肢のニーズが、非常に高いことを示しています。

ROMVIMZA が FDA の優先審査プログラムで承認されたことは、TGCT の患者さんのアンメットメディカルニーズが高いこと、そして MOTION 試験から強力な重要なデータが出たことを示しています。

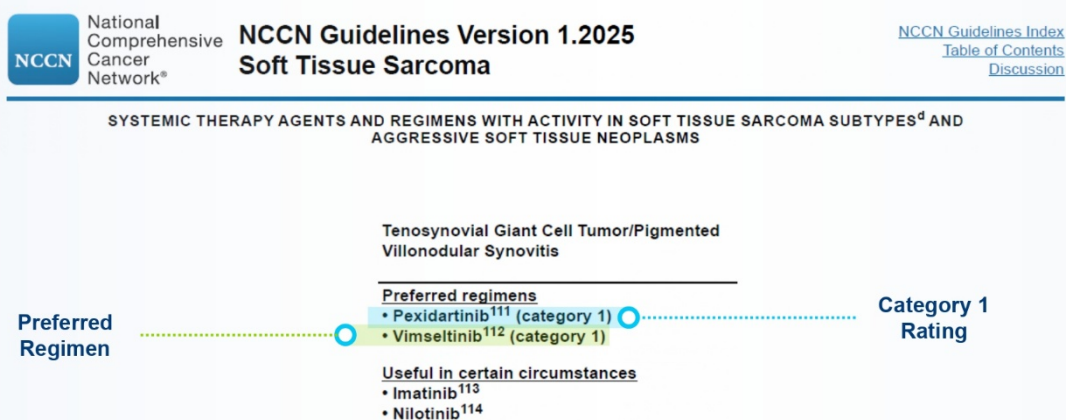
臨床データの裏付けは非常に重要であり、特に ROMVIMZA が治療を必要とする患者層において、ROMVIMZA は TGCT の症状があり、外科切除により機能制限が悪化したり、深刻な健康障害の可能性があったりする患者さんを対象としています。

この適応は外科手術がベストでない選択肢ではない場合に、TGCT の患者さんに重要な別の治療法を提示することになり、かなりの数の対象患者群がいると考えています。

この適応は、手術が最適な選択肢でなくなった場合に TGCT の患者さんにとって重要な代替手段を提供し、意義のある対象患者層を示していると考えています。ROMVIMZA の承認は早くからポジティブに受けられています。それは、ポピュラーなオンコロジーニュースアウトレットを含め、キーオピニオンリーダー、そして大切なことですが、患者支援団体などからの声が聞かれます。この上市后すぐに得た反応は、これから ROMVIMZA がより広いインパクトを持つことを強力に示しています。

市場からの TGCT に関する教育のニーズでは、患者支援団体、特に TGCT サポートと呼ばれる支援団体が、世界中の TGCT 患者のための、重要で信頼されたガイダンスのもととなっています。ROMVIMZA の承認に関する認知を高め、臨床データに関して患者さんに教育するにあたっての彼らとのパートナーシップは重要な役割を果たしており、この新しい治療選択肢について、患者さんに情報を提供する重要なリソースとなっています。

ROMVIMZA Added to the NCCN Guidelines as Preferred Regimen



27/40

さらに NCCN（全米総合がんネットワーク）のガイドラインは、ROMVIMZA の承認から数週間で情報が更新され、ROMVIMZA をカテゴリー1 の格付の中で強力なデータがある、推奨される治療法として加えられました。

ガイドラインにこのようにすぐに入れられたことは、治療法として ROMVIMZA の価値がすぐに認識されたことを示しています。

NCCN ガイドラインは、がん治療における臨床の方向性とポリシーの標準として認識されており、上市後すぐに ROMVIMZA が加えられたことは、全身性 TGCT の新しい標準治療への道が開かれ、患者さんがアクセスできるようになったということです。

Two FDA-Approved Treatments for TGCT in the US: ROMVIMZA and Existing Product



	ROMVIMZA	Existing Product
Indication	Indicated for treatment of adult patients with symptomatic tenosynovial giant cell tumor (TGCT) for which surgical resection will potentially cause worsening functional limitation or severe morbidity.	Indicated for the treatment of adult patients with symptomatic tenosynovial giant cell tumor (TGCT) associated with severe morbidity or functional limitations and not amenable to improvement with surgery.
MOA	Kinase inhibitor that targets CSF1R.	Small molecule tyrosine kinase inhibitor that targets CSF1R, KIT, and FLT3 harboring an ITD mutation.
Black Box Warning	No Black Box Warning.	Black Box Warning for hepatotoxicity i.e. fatal liver injury, including vanishing bile duct syndrome. Monitoring and prompt cessation of Existing Product may not eliminate the risk of serious and potentially fatal liver injury.
REMS Program	No	Yes - Existing Product is available only through a restricted program under a REMS, because of the risk of hepatotoxicity.
Dosing	Twice-weekly	Twice-daily
Dietary Restrictions	None; be taken with or without food.	Must be taken with a low-fat meal. Avoid grapefruit juice.
Contraceptive Restrictions	None. Patients must be on effective birth control while on and for 1 month after the final dose.	Avoid hormonal birth control, since pexidartinib can render hormonal birth control ineffective. Patients must be on effective non-hormonal birth control while on and for 1 month after the final dose.
Hair and Skin Color Changes	No	Hair color changes, skin pigment changes (hypopigmentation, depigmentation, discoloration, hyperpigmentation), photosensitivity reactions.

Reminder: There are no head-to-head clinical trials comparing the efficacy or safety of ROMVIMZA to Existing Product. No comparisons between the efficacy and safety of ROMVIMZA and Existing Product can be made

28/40

ROMVIMZA は米国では TGCT を適応とした二つ目の TKI（チロシンキナーゼ阻害剤）です。既存薬と ROMVIMZA には、いくつかの重要な違いがあります。特に FDA の承認ラベルについて違いがあります。

特に注目すべきは、安全性プロファイルです。既存薬は肝毒性と致命的な肝障害というブラックボックスの警告があり、治療を中止してもリスクが軽減されない可能性があります。こうした深刻な安全性の懸念から、既存薬は治療期間中、頻繁な患者のモニタリングを行い、安全性を確認するために、FDA が実施する医療品のリスク評価、および緩和戦略（REMS）プログラムの下でのみ処方されます。

これに対し、ROMVIMZA はより良い安全性プロファイルを有しており、深刻かつ致命的な肝機能障害は ROMVIMZA では見られておりません。それゆえ、ROMVIMZA は REMS プログラムの対象ではありません。この重要な違いが医師と患者の両者に、非常に好ましく受け入れられていると考えます。

また安全性に加え、ライフスタイルと利便性においても、二つの治療には大きな違いがあります。ROMVIMZA には、患者さんに利便性と柔軟性を提供する特徴があります。

具体的には ROMVIMZA は週 2 回投与と服薬の頻度が少なく、対する既存薬は 1 日に 2 回です。また ROMVIMZA は食事制限や、避妊に関する制限もありませんし、既存薬に見られたような、毛髪と皮膚の色素の変化もありません。これらが患者さんにとって、非常に重要であることが分かっています。

At Launch, Deciphera Will Drive Uptake of ROMVIMZA Through Focus on Two Critical Stakeholders: Oncologists and Patients



Oncologists



Objective: Drive awareness, differentiation and uptake with medical and orthopedic oncologists

- **Highest concentration of eligible patients**
 - Patients who are referred to oncologists are typically symptomatic and in need of other treatment options
- **Targeted and efficient approach**
 - Medical oncologists write 90% of tyrosine kinase inhibitors (TKIs) for TGCT
- **Growth opportunity exists**
 - Medical oncologists only treat 50% of their incident patients with a TKI
- **High unmet need**
 - Medical oncologists seeking new, non-surgical treatment options
- **Aligns w/ Deciphera synergies and call points**

TGCT Patients



Objective: Engage, empower, & activate symptomatic TGCT patients

- **Active and organized patient/advocacy groups**
 - TGCT patients are highly involved in their journey and supporting other patients
- **Extremely motivated due to current dissatisfaction**
 - Eager to find new, alternative non-surgical and safe treatment options
- **Highly influential in treatment decisions**
 - MDs actively consult patients in treatment process
- **Large Information void for TGCT**
 - Patients yearning for more information to help guide optimal treatment path

30/40

Deciphera が TGCT に対する ROMVIMZA の採用を促進するアプローチは、2 つの重要なステークホルダー、すなわち腫瘍専門医（内科医と整形外科医の両方）および患者に焦点を当てています。これらのステークホルダーと効果的に関わるためには、まずそれぞれの周囲のダイナミクスを理解することが重要です。

腫瘍専門医に関しては、TGCT のために腫瘍専門医に紹介される患者さんは、しばしば症状のある病気のために手術以外の治療オプションを求めています。これらの方々は、以前に手術を受けたことがあるかもしれませんが、ないかもしれませんが、手術を受けた患者さんは再発性の病気を持っている可能性が高いです。米国では、腫瘍専門医が TKI の処方の大部分を行っています。しかし、現在彼らのケアを受けている TGCT 患者の 50% しか TKI で治療されていません。これは、利用可能な治療法に対する信頼の欠如が原因であることが多いです。

その結果、現在腫瘍専門医のケアを受けている症状のある患者さんの多くが TKI で治療されていません。これらの患者は、全身療法の必要性が高まる可能性が高いです。この治療のギャップは、ROMVIMZA にとって大きな機会を提供します。

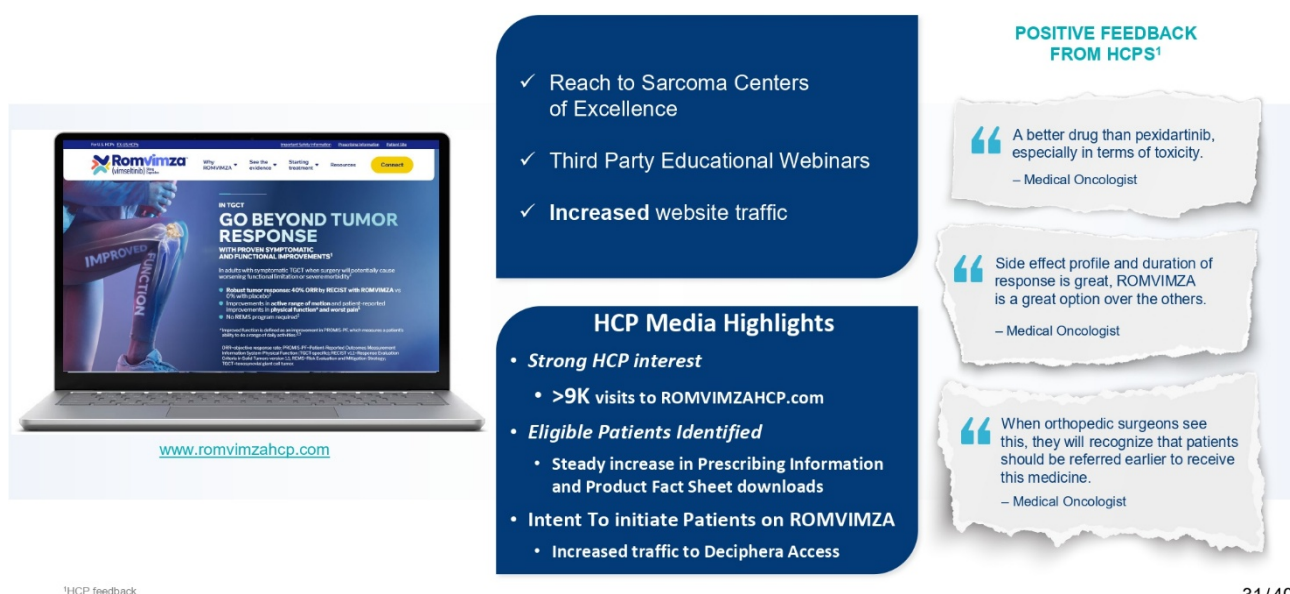
TGCT は、学術センターと地域社会の両方で肉腫治療者によって治療されています。そのため、これらの患者を診る医療従事者と、Deciphera の商業チームが QINLOCK のために関与している医療従事者との間には非常に高い重複があります。これらは馴染みのある医師であり、QINLOCK と ROMVIMZA の両方にとってシナジーのある接点です。

これらの医療従事者に対して ROMVIMZA を差別化し、TGCT における未充足のニーズを強調し、より良い代替手段を求める患者の声を増幅することが、Deciphera の主要な発売目標です。しかし、腫瘍専門医にだけアプローチするだけでは不十分です。TGCT の患者さんは、新しい治療オプションの需要を促進する上で重要な役割を果たしており、他の腫瘍性疾患よりもその傾向が強いです。

TGCT の患者さんは、病気に関するリソースや教育の不足から、患者支援団体と非常に組織的に関わっています。このグループは、特に最初の再発後や衰弱させる手術と長い回復期間の経験から、手術に不満を持ち、情報や代替オプションを求めています。

TGCT における生活の質への焦点から、患者は治療の決定や医師の処方意欲に強い影響を持っています。これらの患者はしばしば追加の手術を拒否し、他のオプションを求めて自己主張し、腫瘍専門医や肉腫専門医に自ら紹介することもあります。

Deciphera Is Swiftly Driving Awareness Of ROMVIMZA Approval With Oncologists



31/40

ROMVIMZA の承認を腫瘍専門医に認知させ、腫瘍専門医と相談して非手術的な治療オプションや新たに適応された TKI を検討する重要性を教育することは、ROMVIMZA の需要を促進する重要な要素です。これまでに得られた好意的な反応を基に、腫瘍専門医との関わりを深め、認知度を高める努力から具体的な成果が見られています。

私たちの目標で述べたように、発売から数ヶ月しか経っていないにもかかわらず、Deciphera は腫瘍専門医に対する承認の認知を迅速に推進することに成功しました。この初期の成功は、腫瘍専門医らのフィードバックに反映されています。これまでのところ、特に安全性プロファイルや現在利

用可能な他のオプションに対する改善に関して、非常に好意的な反応を得ています。

Likewise, Deciphera is Driving Awareness of ROMVIMZA and TGCT Education with Patients



www.romvimza.com



www.TGCTtruth.com

Patient Media Highlights

- Strong Patient Interest
 >11K visits to ROMVIMZA.com
- Intent to Request ROMVIMZA from HCP
 Doctor Discussion Guide downloads
- Intent to Start Treatment
 Deciphera Access Point visits

Earned Media Highlights

- 3rd party webinars regarding TGCT aligned with ROMVIMZA approval



EXCITEMENT FROM PATIENT COMMUNITY

“Patients are making appointments to ask about ROMVIMZA!”
 – Patient Advocate

“I know a patient who showed their HCP the ROMVIMZA PI to talk about treatment!”
 – Patient Advocate

“We have a webinar series dedicated to the evolving treatment landscape of TGCT.”
 – Patient Advocate

32/40

同様に、患者さんを対象とした認知活動も好意的に受け入れられており、支援団体からは患者さんがこの新しい治療オプションについて学び、腫瘍専門医と相談しているとの報告があります。患者さんが処方情報を医師と共有し、ROMVIMZA の処方を求めているケースをいくつか聞いています。

ROMVIMZA Has Demonstrated Positive Market Receptivity



Positive Product Impressions

- Strong positive reaction to no REMS and no black box warning
- Minimal liver toxicity with no hair depigmentation
- Viewed as effective with rapid improvement in symptoms and tumor response
- Twice weekly dosing with no food restriction

Broad Prescriber Base

- ROMVIMZA Rx coming from Sarcoma Centers of Excellence, academic, community and government accounts

Fast Patient Access

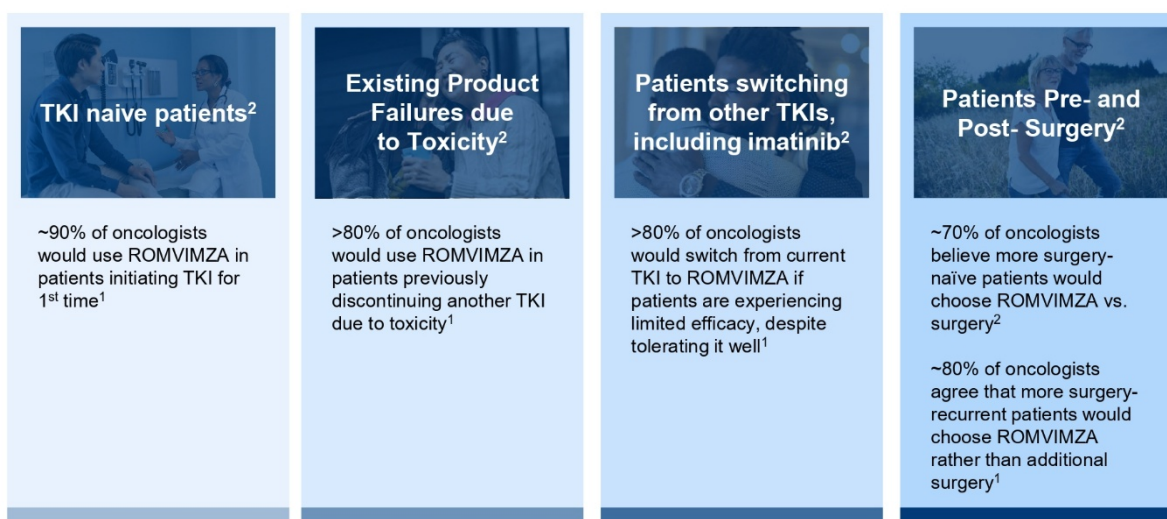
- Positive Feedback on product profile from Payers
- Early and Broad Payor Coverage
 - Commercial
 - Medicare
 - Medicaid
 - Veterans Affairs
- Limited evidence of New to Market Blocks

33/40

全体として、ROMVIMZA の臨床プロファイルに関する好意的なフィードバックでは、特にその有効性、安全性、忍容性、利便性について非常に満足されています。この好意的な反応は、これまでに見られた多様な処方者グループによってさらに強化されています。これまでのところ、ROMVIMZA の初期の処方者は、優れた肉腫センター、学術施設、地域施設、退役軍人病院などの政府機関を含む幅広い基盤から来ています。米国各地で採用が見られています。これらの様々なセグメントからの早期の認知と採用は、これらのセンターでの持続的な採用の強力な指標であると考えています。

処方者の採用に加えて、患者さんのアクセスも重要な優先事項であり、強い進展が見られています。予想通り、患者さんのアクセスは迅速で、広範な保険者のカバー、限定された新規市場、ROMVIMZA の臨床プロファイルと価格に関する保険者からの全体的な好意的なフィードバックが得られています。

ROMVIMZA Usage Across Various Patient Profiles Aligns with Oncologists' Positive Perceptions



¹ TGCT US Demand Estimation Study, July 2024
² ROMVIMZA market data

34/40

最後に、処方者や保険者からのフィードバックに加えて、ROMVIMZA が処方された最初の患者さんのプロフィールが、事前の市場調査で予想していた通りで、今後も広く使われ続けることを示しています。この一致は、ROMVIMZA が様々な患者のニーズに応えていることを示す重要なサインです。これまでに患者さんの中には、TKI を使ったことがない方、毒性のために他の製品がうまくいかなかった方、他の TKI から切り替えた方、手術を受けたことがない方、手術後に再発した方がいらっしゃるということがわかっています。

Significant Growth Opportunities in TGCT and cGVHD



ROMVIMZA just approved in the US with encouraging early launch indicators



Significant commercial opportunity in TGCT that is highly synergistic with GIST



Potential for market expansion with increased awareness and referrals



Under review by the European Medicines Agency for TGCT



Label expansion opportunity in cGVHD

35/40

ROMVIMZA が処方された様々な患者プロフィールは、TKI 治療が TGCT において広範な患者層と市場成長の可能性を示す初期の指標だと考えています。初期段階での良好な受け止め方、多様な患者プロフィールを考慮すると、ROMVIMZA は TGCT のベストインクラスの治療薬となり、既存の類似製品が示した市場の可能性を超え、強力な基盤を築くチャンスがあると信じています。

この成長の可能性は米国に限らず、ドイツでの発売の可能性や、さらにグローバルな市場拡大の機会も存在します。また、慢性 GVHD への適応拡大の可能性や、その病態での商業化計画を探ることも期待しています。

それでは、Deciphera の初期段階のパイプラインについて、Matt をお願いしたいと思います。

Solving Limitations of Classical Kinase Inhibitors



We take advantage of variation in the switch-control amino acid environment to design superior, drug-like molecules

Higher kinase specificity

- Enhanced kinase selectivity
- Stabilize inactive form of the kinase
- Fewer off-target effects

Increased potency

- Insensitive to cellular [ATP]
- Extended pharmacology

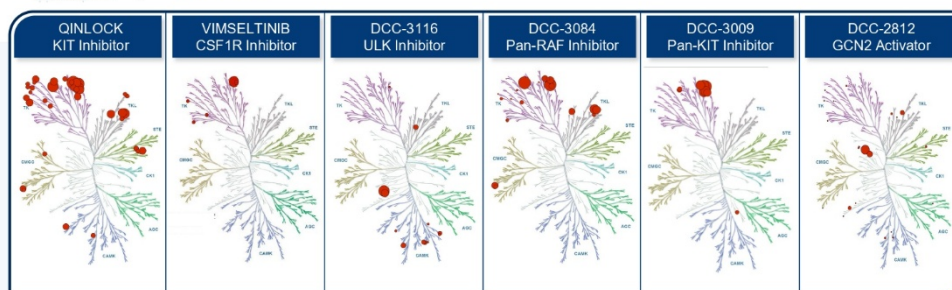


37/40

Matt: では、キナーゼ阻害に対するわれわれのユニークなアプローチ、われわれの独自の探索プラットフォーム、そしてそれが生み出したエキサイティングな初期段階のプログラムについて、ご説明いたします。

Deciphera では、スイッチ制御アミノ酸、環境変異を利用しまして、ATP 結合ポケットではなく、スイッチ制御活性化ポケットを標的とする、特異性の高い分子を設計しています。これによりキナーゼ選択性が向上し、オフターゲット効果が少なくなりますため、キナーゼ特異性が高くなります。また薬剤が細胞内の ATP と競合しないため、力価の向上にもつながります。

Switch Control Platform has Delivered Multiple Approved Agents and Clinical Stage Compounds



Notes: CSF1R=colony-stimulating factor 1 receptor, GCN2=general control nonderepressible 2, KIT=KIT proto-oncogene receptor tyrosine kinase, RAF=rapidly accelerated fibrosarcoma, ULK=unc-51-like autophagy-activating kinase.

Deciphera has developed two FDA approved drugs

Additional compounds are in pre-proof-of-concept clinical studies or entering development in 2025

Sustainable platform for development of future kinase inhibitors and activators

38/40

ここに示す図に見られますように、弊社のスイッチコントロールプラットフォームは、複数の承認薬と臨床段階の化合物を供給しております。弊社では QINLOCK と ROMVIMZA という二つの FDA 承認薬を開発しており、さらに今年、PoC をやっているもの、あるいは臨床開発段階にある化合物があります。

われわれは将来のキナーゼ阻害剤、および活性化剤開発のために、持続的なプラットフォームを手に入れることを考えています。

Driving Innovation Through Our Proven Discovery Engine



Fueled by our proprietary drug discovery platform, we intend to advance multiple drug candidates to treat cancer			
DCC-3116 (ULK)	DCC-3084 (RAF)	DCC-3009 (KIT)	DCC-2812 (GCN2)
• Potential first-in-class ULK inhibitor • Designed to inhibit cancer autophagy, a broad potential resistance mechanism	• Potential best-in-class pan-RAF inhibitor • Validated target with single agent and combination opportunities	• Potential best-in-class pan-KIT inhibitor • Designed to inhibit the spectrum of KIT mutations that drive GIST	• Potent and selective activator of the GCN2 kinase regulation of the integrated stress response
EXPECTED 2025 MILESTONE Strategic decision for expansion cohort(s) in combination with sotorasib and ripretinib	EXPECTED 2025 MILESTONE Strategic decision on opening solid tumors expansion cohort in Phase 1 study	EXPECTED 2025 MILESTONE Continue to enroll dose escalation cohorts in Phase 1 study	EXPECTED 2025 MILESTONE Initiate enrollment in Phase 1 study

Notes: ULK=unc-51-like kinase; RAF=rapidly accelerated fibrosarcoma; KIT=KIT proto-oncogene receptor tyrosine kinase; RP2D=recommended Phase 2 dose; FDA=U.S. Food and Drug Administration; IND=Investigational New Drug Application; GCN2=general control nonderepressible 2; GIST=gastrointestinal stromal tumor

39/40

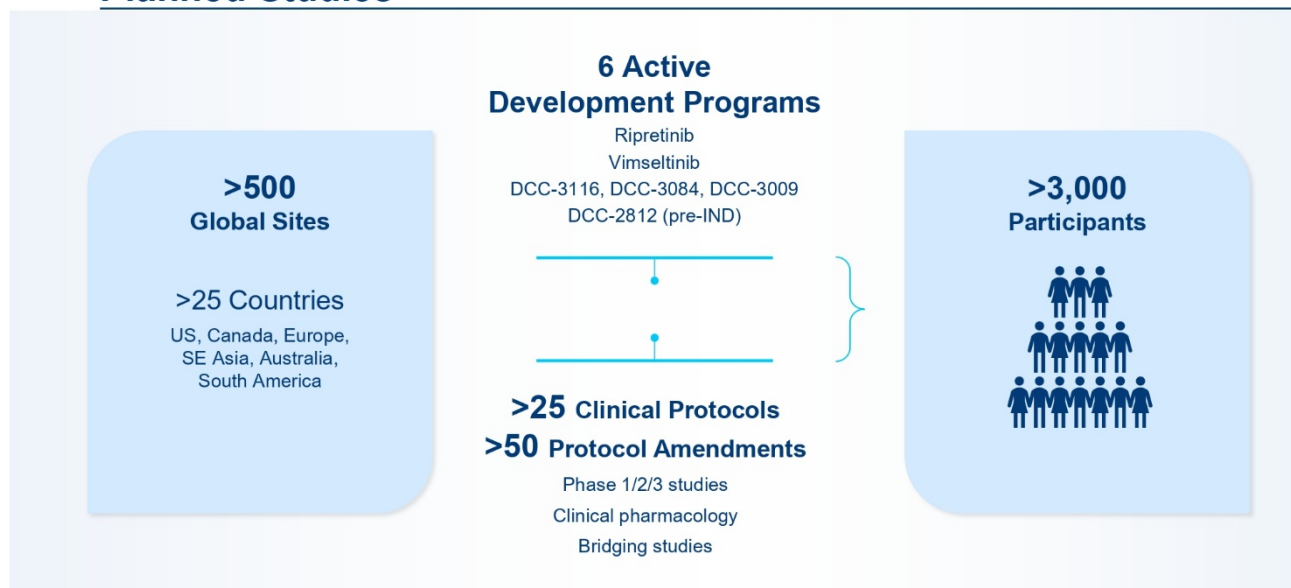
QINLOCK と ROMVIMZA の先にも、Deciphera の成長をけん引していく力のある臨床、研究パイプラインがあり、私たちは大変期待しています。

DCC-3116 は、ファーストインクラスの ULK キナーゼ阻害剤となる可能性を持っており、オートファジーを阻害することで、がんの耐性を予防します。

DCC-3084 は、ベストインクラスの Pan-RAF の阻害剤となる可能性があり、DCC-3009 は第 2 世代のベストインクラスの Pan-KIT 阻害剤で、GIST の原因となる KIT 変異スペクトラムを阻害するように設計されています。

そして DCC-2812 は、総合的ストレス応答にかかわる GCN2 キナーゼの、強力で選択的な活性化剤です。

Deciphera Clinical Development – Completed, Ongoing and Planned Studies



40/40

われわれ Deciphera は、これまでの仕事を大変誇りに思っていると同時に、今後も臨床開発におけるわれわれの仕事を追求してまいります。

少人数ではありますがパワフルなチームで、現在 6 つの開発プログラムに取り組んでいます。過去数年の間には、25 件以上の臨床プロトコルを 500 拠点以上の研究拠点、25 カ国でオープンし、3,000 人以上の参加者がそれを行ってきました。私たちは情熱的に、粘り強く、がんに苦しむ人々の生活改善のために取り組み続けています。

質疑応答

井村：ここからは皆様からのご質問をお受けしたいと思います。まずは会場の参加の方からお受けしたいと思います。シティグループ証券の山口様、よろしくお願いします。

山口：いくつか質問があります。まずは、資料 22 ページについてです。

マーケットについてですが、まず患者数です。現在、既存薬での治療を受けている患者数を教えてくださいませんか。つまり、この 1,400 人のうちの何人が治療を待っていらっしゃる方なのでしょうか。既存薬で治療中の患者も含め、御社の対象患者数はどれぐらいでしょうか。

Margarida：このスライドは ROMVIMZA を待っている、あるいは待っていた患者さんの数とその機会を示しています。

既存の類似製品についての最初の質問ですが、どれだけの患者がこの製品を使っているか、あるいは使っていたかを具体的に示すのは難しいです。事実を挙げると、昨年の公開情報によれば、この製品は 2024 年、つまり会計年度ではなくカレンダー年度で、米国で約 4,000 万ドルの売上を上げました。これが、既存の類似製品がどれだけの患者さんを治療しているかという前提のもとでの機会を考える際に私たちが念頭に置いている数字です。

次の質問についてですが、1,400 人の内、ROMVIMZA を待っている新規患者についてでしたね。

山口：はい。まだ待っていらっしゃる患者さんがいると思います。治療を待っていらっしゃる患者さんがどれぐらいいらっしゃるのでしょうか。また手術を受けた後、待っていらっしゃる方も含めて、1,400 人のほかに、最初にこの治療法を受ける方って、どれぐらいの方がいらっしゃるのでしょうか。

Margarida：1,400 人のほかに今、腫瘍専門医で診ていらっしゃる方ですね。腫瘍専門医に診てもらっている方で、治療の必要な方、例えば疼痛の治療ですとか、ステロイド、TKI を受けていらっしゃる方、いろいろいらっしゃると思います。ただそのうち 50%、半数しか、この TKI を受けていません。

よって、1,400 人のうち半数しか、まだこの TKI の治療を受けておりませんので、多くの患者さんが ROMVIMZA を待っている状況にあります。これがわれわれの今の患者プロファイルに入っています。TKI ナイーブと呼ばれている患者さんたちです。この方たちが TKI、もしくは ROMVIMZA を待っています。

山口：最後にこの Prevalent の患者さん、9,000 人のところですけども、この方たちは治療を受けていらっしゃると思いますが、こうした患者さんが実際に診断を受けて、そして治療を受けるようになるにはどれぐらいかかるのでしょうか。

Margarida：9,000 人のこの患者さんたち、まずは既に腫瘍専門医にかかっています。ですので青い部分、この 1,400 人、そして 9,000 人の二つを足した患者さんが、既に腫瘍専門医で治療されています。

アメリカでは、多くの TKI の治療は腫瘍専門医が処方するようになっています。ですので、上市の時点ではこの 1,400 人だけではなくて、この 9,000 人の患者さんのほうも対象にしています。そしてこの 3 つのサイクルの差ですけども、1,400 人を入れるかどうか。どのように TKI を使っているかということです。

9,000 人の患者さん群のところでは、例えば疼痛治療ですとか、ステロイドを使った治療が行われています。ですので、私たちはこれから市場がまだまだ大きくなっていくと思っています。この TKI を使われた患者さんは、これから増えていくと考えています。

ここに示しますように、このブルーの部分の患者さんは TKI ではなくても、既に腫瘍専門家による治療を受けている方々になります。

井村：大和証券の橋口様、よろしくお願いします。

橋口：大和証券の橋口と申します。大きく二つあります。

一つ目が承認されてからこの 3 カ月ほどの間、こういった方が治療をスタートされていらっしゃいますでしょうか。これまで別の TKI を使っていた方が ROMVIMZA に切り替えている患者さんと、これまで TKI による治療を受けていなかった方で、つまりナイーブの患者さんで ROMVIMZA を始めている患者さんと、どちらのほうが多い状況でしょうか。

今後数カ月、これはどのように変わっていくとお考えでしょうか。

Michelle：この発売初期に見られる患者プロフィールに非常に興奮しています。これまでに TKI を使ったことがない患者さん、以前に TKI を使用していた患者さん、手術を受けたことがあるかもしれないし、ないかもしれない患者さんを見てきました。発売初期にこれらすべてのタイプを知っていることは非常に嬉しいことで、既存の製品等を使用していた患者さんにとっても、良い機会があると考えています。これらの患者さんの中には、期待していた効果が得られずに治療を中止した人もいることを知っています。ですので、これらの患者層は今後 ROMVIMZA の良い候補者になると考えています。

また、既存の類似製品のプロフィールが医師や患者さんにとってその製品を採用する際の大きな障害であったことも知っています。Margarida が言ったように、全身療法が必要な患者がいることはわかっていますが、治療オプションが好ましくなかったために腫瘍専門医への紹介がされていないかもしれません。今では、腫瘍専門医が処方できるより良いオプションがあるため、紹介パターンが増えると思っています。

さらに、Margarida が言ったように、腫瘍専門医のケアを受けている患者さんのうち、現在 TKI で治療されているのは半分だけであり、治療オプションが好ましくなかったためにその治療率を上げることができると思っています。ですので、これからも TKI を過去に使用した患者さん、既存の類似製品やイマチニブを使用した患者さん、TKI 治療が初めての患者さんを見続け、腫瘍専門医に評価のために紹介される患者層を増やしていくと考えています。

橋口：ありがとうございます。2 点目は Matt さんへの質問です。先ほど滝野さんのプレゼンテーションの中で、今後さまざまな開発品を Deciphera が中心になって開発していきたいというお話をされていたと思います。

Matt さんの目から見て、今の小野薬品のパイプラインで、こういった開発品に興味を持っていられるか。Deciphera の力が最も生きるであろうとお考えのパイプラインがあれば、教えていただきたいと思います。

また今後、第三者から新たな開発品を導入してくることへの意欲も、滝野さんはおっしゃっていたと思いますが、Matt さんから見てこういった品目を獲得できると、Deciphera としてはエキサイティングかどうかを教えてくださいたいと思います。

Matt：質問は Deciphera のパイプラインに関するもので、どの薬が私や Deciphera にとって特に興味深いかということですね。

まず、これまでの多くの年にわたる私たちの取り組みを強調したいと思います。まず、2020 年に GIST 患者の治療のために QINLOCK を承認させたことです。私たちの最初の研究は、四次治療の GIST 患者を対象としたもので、これが FDA や EMA を含む世界 40 カ国以上での四次治療 GIST 患者の治療承認に繋がりました。

現在、Exon 11 および 17/18 に変異を持つ第二次治療 GIST 患者を対象とした INSIGHT 研究が進行中です。Exon 17/18 の変異は、第二次治療患者に承認されているスニチニブが効果を発揮しない KIT キナーゼのスイッチコントロールポケットを表しています。二次治療患者を対象とした INTRIGUE 研究に基づく探索的研究では、その特定の変異を持つ患者のサブセットで、QINLOCK

の反応率は 44%であったのに対し、スニチニブは 0%でした。また、無増悪生存期間の中央値は、QINLOCK が 14.2 ヶ月であったのに対し、スニチニブはわずか 1.5 ヶ月でした。

その特定の変異を持つ第二次治療 GIST 患者に対する QINLOCK の可能性に非常に期待しており、54 人の患者を対象とした確認的な第 III 相試験 INSIGHT が進行中です。また、ROMVIMZA の慢性移植片対宿主病への拡張も、ROMVIMZA の機会を増やす非常に良い機会となる可能性があります。

慢性移植片対宿主病の治療のために別の薬剤が承認されていますが、それは 2 週間ごとの IV 投与が必要です。そのため、慢性 GVHD 患者に対する経口療法のニーズは、治療医によって非常に求められています。

そしてもちろん、他のパイプラインも非常に興味深いものです。最近言及された新しい機会として、小野薬品が Ionis から真性多血症の治療のためにライセンスを受けたアンチセンスオリゴヌクレオチドであるサパブルセンのライセンス取得がありました。今後、このプログラムについての更新を楽しみにしています。

井村： SMBC 日興証券の和田様、よろしくお願いします。

和田： サイエンスの基礎的なお話でお伺いしたいんですけども。ROMVIMZA の毒性、ペキシダルチニブのほうでワーニングが出ていて、毒性が問題になっているんですけども、その毒性の問題となっているキナーゼが特定されているかどうかをお伺いしたいのが、まず 1 点目です。いかがでしょうか。

Matt： これは CSF1 受容体の阻害による効果ではありません。他の薬剤、例えばビムセルチニブや他の研究中の薬剤では、同じ胆汁うっ滞性肝毒性は見られていません。FDA と既存の類似製品について議論された文書によれば、これは特定のファーマコフォア、つまり患者の体内で生成されるその製品の代謝物に関連している可能性があり、胆汁うっ滞性肝毒性を引き起こすとされています。したがって、これはその既存の類似製品に特有の効果であり、他の CSF1 受容体阻害剤では見られないようです。

和田： それに関連するところなんですけれども、37 ページ目のところで、キナーゼインヒビターのスイッチポケットを触っていますという話をされたんですけども。いわゆるキナーゼ阻害薬の中ではアロステリック型と呼ばれる阻害薬、それによってキナーゼ選択性が高いということなんだと思うんですけども。38 ページ目に記載いただいた 6 種類のキナーゼ阻害薬は、いずれもアロステリック阻害薬と考えていいのでしょうか。

Matt : Deciphera が研究に注力しているのは、スライドの一つで示されたスイッチコントロールポケットを標的とするタンパク質キナーゼの低分子阻害剤です。このポケットは、ATP 結合ポケットとは異なるタンパク質の領域です。腫瘍学の分野で開発・承認されているほとんどの低分子キナーゼ阻害剤は、ATP 結合ポケットを標的とし、キナーゼが下流のタンパク質をリン酸化する際に使用する ATP 基質と競合します。

しかし、Deciphera はスイッチコントロールポケットを標的とすることで、活動が異なり、より選択的で、細胞内の ATP 濃度と競合しない薬剤を見つけました。次のスライドで示すパイプラインは、すべてスイッチポケットキナーゼ阻害剤または活性化剤を表しています。例えば、GCN2 は私たちの最新の分子であり、今年ヒト試験を開始するために米国で IND（治験届）を提出しました。これは、統合ストレス応答に関与し、細胞死を引き起こすキナーゼの活性化剤です。

井村 : 続きまして、ゴールドマン・サックス証券の植田様、よろしくお願いします。

植田 : 既存の類似製品との比較を示された今、ビムセルチニブの開始におけるリスク要因は何でしょうか。既存の類似製品の利便性と安全性の利点について言及されましたが、この差別化は、御社が想定する規模の増加につながると期待できるかどうかを知りたいです。

これまで他に効果的な選択肢がなかった中で、既存品は徐々に処方されました。今回導入された安全性によって問題が解消されるかどうか、またリスク要因があるかどうか、ボトルネックについて教えてください。

Michelle : 先ほど申し上げたように、既存の類似製品の採用は、その安全性プロファイルと REMS プログラムがネックになっていたと考えています。よって、処方を決定する医師が制限され、多くの腫瘍専門医が既存製品を処方する経験を得ることができませんでした。

ROMVIMZA は、有効性だけでなく、安全性と利便性においてもポジティブな差別化があると感じています。これが医師の処方する強力な理由になると考えています。以前は、既存の類似製品の安全性プロファイルが病気そのものよりも危険だという認識から、外科医が患者さんを腫瘍専門医に紹介することが限定的でした。しかし、ROMVIMZA のプロファイルにより、外科医は患者さんを腫瘍専門医に紹介しやすくなると感じています。

また、患者自身も ROMVIMZA を使うことでより良い選択肢、より安全な選択肢があると感じているため、腫瘍専門医に行く意欲が高まっています。既存の類似製品では、REMS プログラムを通過したくない、肝不全の安全性リスクを負いたくないと考えていました。これらの患者さんは若く、他に健康上の問題がないことを覚えておいてください。そのため、安全性リスクを負うことは確か

に制限要因でした。私たちの製品の差別化が、患者さんが ROMVIMZA を求め、医師が ROMVIMZA を処方することに前向きになる大きな市場を開拓する鍵になると感じています。

植田：2 点目が今回、小野薬品グループに入ったところについての、変化について教えていただけますでしょうか。現状の組織融合ですとか、また融合後の R&D バジェットに対しての御社の見方について、教えていただければと思います。

また今後、組織も融合していくところでしたので、企業カルチャーのフィットについても、お感じのところですか、今後融合していく上で何かチャレンジングなポイントがあるようでしたら、ご紹介いただければと思います。

Margarida：私自身について言えば、私は大手製薬会社のバックグラウンドを持っています。アムジェンで 11 年間働き、キャリア初期にはアルニラムやアストラゼネカにも所属していました。ですので、グローバルな企業、他国に本社を持ち、強力なパイプラインを持つ企業に非常に慣れています。ONO もその例であり、R&D や商業的な専門知識を持っています。

個人的には、この挑戦に非常に興奮しています。小野薬品の傘下にいることで、より大きなパイプラインを持ち、Deciphera のパイプラインだけでなく、小野のパイプラインとも協力できると感じています。また、ONO と協力して QINLOCK や ROMVIMZA を日本や韓国などに導入し、さらに多くの市場に進出して患者に大きな影響を与えることができます。

個人的には、大きな組織の傘下にいることに非常に安心感を持っています。そして、これは私のバックグラウンドにとって新しいことではありません。同僚にもコメントを求めたいと思います。

Michelle：私たちの使命にはシナジーがあると信じています。小野薬品と Deciphera はどちらも患者ケアに焦点を当てています。Margarida が言ったように、グローバルな足跡を持ち、市場により多くの薬を適切に投入するためのリソースを持つことは、Deciphera にとって非常に強力です。また、小野と一緒にすることで、ライセンスの機会について戦略的に考えることができるようになり、より強力なパイプラインをグローバルに商業化し、戦略的に優先順位をつける機会があります。

Matt：Margarida と似ていて、私は小規模な企業にいて、その後大手のグローバル製薬会社を買収されるという経験をしてきました。最初のバイオテクノロジーの経験は、ボストン・ケンブリッジ地域の初期段階のバイオテクノロジー企業である Genetics Institute という会社で、その後 Wyeth-Ayerst Research に買収されました。

その役割では、低分子を開発に持ち込み、米国で承認された最初の抗体薬物複合体を日本でも承認することができました。その会社はその後、ファイザーに買収されました。これが革新的な小規模企業の自然な歴史です。

次に働いた会社は Acceleron Pharma で、12 年間勤めました。これはボストン・ケンブリッジ地域で成功したバイオテクノロジー企業でしたが、その後メルクに買収されました。再び、小規模な革新的企業から大手多国籍製薬会社への移行です。

小野が持つ非常に深い研究経験は、グローバルな開発に多くのエキサイティングな機会をもたらすと思います。このパイプラインスライドには、小野が日本、韓国、台湾で開発している、または米国やグローバルに開発している 3 つの概念実証化合物が示されています。

さらに、小野が持つ非常に深い事業開発経験は、新しい分子を導入するための優れた触媒となるでしょう。最近では、サパブルセンのライセンス取得がその証です。小規模企業の革新、大手製薬会社の深い研究、そして非常にうまく協力している 2 つの文化を結びつけることができると思います。

井村： それでは、JP モルガン証券の若尾様、よろしくお願いします。

若尾： 私からは 1 点です。ROMVIMZA の EU での機会についてです。

アメリカと EU について、何か違いがあると思われますか。EU では、ご説明では今、承認された治療がないということですが、まずアメリカのほうで成長を遂げられて、また今後のヨーロッパのほうでの治療法がない状態での参入については、どのような期待があると見通しておられますか。

Margarida： 米国で見られる状況に非常に興奮していることを改めて強調したいと思います。ミシェルが先ほどのコメントでも触れていましたが、これまでの米国での発売は非常に素晴らしいものです。もし承認されれば、ヨーロッパでも同様の成功を収めたいと考えています。ただし、ヨーロッパ医薬品庁での審査はまだ進行中であることをお伝えしておきます。新しい情報が得られ次第、共有していきたいと思います。

おっしゃる通り、現在ヨーロッパでは承認された治療法がありません。そのため、アンメットメディカルニーズはヨーロッパでさらに高いと言えるでしょう。しかし、市場もまだ発展途上です。多くの患者が利用可能な治療オプションがないため、まだ外科医のもとに留まっています。ヨーロッパでは多くの患者が腫瘍専門医に紹介されていません。もし承認されれば、米国と同様に、患者さんを外科医から腫瘍専門医に紹介する取り組みが必要です。ヨーロッパでも、TKI の大部分を処方するのは腫瘍専門医ですので、患者さんを外科医から腫瘍専門医に紹介する必要があります。

最後に申し上げたいのは、私たちには非常に説得力のあるデータと製品があります。ヨーロッパでは、QINLOCK を通じて KOL（キーオピニオンリーダー）との素晴らしい関係を築いています。TGCT を治療する多くの KOL は、すでに QINLOCK で GIST を治療しています。QINLOCK をすでに発売している国や発売準備をしている国での強力な関係を活用していきます。

また、ヨーロッパで承認された場合、米国市場からの学びを活用する機会もあります。ヨーロッパのチームにとっても、非常に献身的で、将来の発売に向けて非常に意欲的です。米国チームが行っている素晴らしい仕事から学ぶことができるでしょう。現在米国で見られる状況や KOL からの声に非常に興奮しています。今後の展開に期待しており、ヨーロッパに関するさらなるニュースを早くお届けできることを願っています。

井村： それでは、野村證券の松原さん、よろしくお願いします

松原： 競合品の Pimicotinib のメルクに関してなんですけれども、患者背景であったり、競合品が出てくることで市場拡大するのが資料に書かれていると思うんですけれども、彼らの薬剤を見ると ORR は 54% という効果を示しておりまして。今、この状況を考えて、御社が考えていらっしゃるピークセールであったり、また治療のシェアとか脅威度、こういったところを何かコメントをいただければと思います。

Margarida： ピミコチニブのデータセットを確認する必要があります。昨年末にトップラインの結果が共有されたことは知っています。つまり、2024 年末に会社がトップラインデータを発表しましたが、まだ結果を見ていません。また、KOL からは、特にサブグループ分析の詳細な結果を見たいという声があることも知っています。私たちも KOL コミュニティも、全体のデータセットを理解したいと考えています。

ROMVIMZA については非常に満足しています。これまでのところ、KOL からのフィードバックは非常に優れています。患者さんからのフィードバックもあり、ROMVIMZA を始めた患者さんがすぐに痛みがなくなったという話もあります。発売からわずか 3 ヶ月で、市場で見られる成果、差別化されたラベル、非常に説得力のあるデータに驚いています。

以前にも述べたように、これらの処方者との関係はすでに非常に強固です。GIST との重複が非常に高く、米国では 70% から 80% です。あなたの質問で言及されたことは非常に重要です。ピミコチニブや他の新しい参加者が、認知度や教育を高め、市場を拡大し、将来的により多くの患者に利益をもたらす可能性があります。しかし、ROMVIMZA の現状には非常に満足しています。

井村： つづきまして、UBS 証券の酒井さん、よろしくお願いします。

酒井：まずプレゼンテーションの中で、合併の際に小野が出した患者数があります。そしてターゲットの患者数、そしてアメリカ、ヨーロッパでの患者数が1万5,000人となっています。

そして今日のプレゼンでは、関心を抱いたのは今後何人の患者さんが、例えば外科手術を受けられるのでしょうか。そしてその患者さんの状況が外科後悪ければ、なぜまた外科をずっと繰り返されることになるのでしょうか。

Vimseltinib の適用があれば、まずこれが最初の選択肢になる。それか外科手術が最初の選択肢になるのでしょうか。外科手術後に薬を使われるようになるのが今ということになりますが、これは変わっていくということでしょうか。この考え方でよろしいでしょうか。

Margarida：なぜ手術なのかということですね。TGCT のタイプによりますが、TGCT が局所型かびまん型かによって異なります。タイプによっては、手術で治癒する患者さんもいらっしゃいます。ですので、手術が依然として TGCT 治療の第一選択肢となっています。

しかし、最近の医学会議では、外科医と腫瘍専門医の両方が TKI の役割について疑問を持っています。ROMVIMZA や他の TKI が登場することで、手術が第一選択肢であり続けるのか、それとも変わるのか、標準治療や治療アプローチが変わるのかを議論しています。ROMVIMZA の発売により、市場がどのように変わるかが非常に興味深いです。

手術で治癒する患者さんもいらっしゃいますが、多くが再発します。再発する方が多く、二度目や三度目の手術を受けることができる方もいますが、それは有害です。これらの方々にとって、TKI の役割があるかもしれませんが、手術が適応されないケースもあります。ですので、ROMVIMZA の発売初期において、KOL や医療コミュニティも将来の手術の役割について疑問を持っています。これは継続的な議論です。

Matt、科学的および医学的な観点から聞いていることについてコメントできますか？

Matt：Margarida が述べたように、TGCT は局所型とびまん型の両方で発生します。局所型の腫瘍は小さく、直径1センチメートル程度で、手などの小さな関節に発生することが多いです。局所型 TGCT の患者さんは手術で治癒する可能性があり、手術後に再発するのは約15%のみです。これは一部の方にとっては合併症ですが、局所型の病気を持つすべての患者さんではありません。

TGCT のもう一つの形態であるびまん型は、これらの腫瘍は通常大きく、平均で5センチメートル以上のサイズです。これらの患者さんの半数以上が手術後に再発します。手術後に再発する患者さんが多く、これらの多くは複数回の手術を受けていらっしゃいます。

第 III 相 MOTION 研究では、70%以上の患者さんが少なくとも 1 回の手術を受け、約 10%が 4 回以上の手術を受けました。これらは非常に衰弱させるものです。また、Margarida が示したように、より忍容性の高い低分子薬が利用可能になれば、手術を絶望的な手段として病気を治療する必要がなくなるため、状況が変わると思います。

Michelle：コマーシャルの立場から一つ付け加えたい点があります。この病気は希少疾患であり、先ほどのコメントでも述べたように、患者さんや医師に対する教育があまり行われていません。特に地域の多くの腫瘍専門医は、TGCT の治療経験があまりありません。

私たちのチームは、Matt が述べたように、多くの患者さんが再発することや、複数回の手術が患者さんにとって最善ではないことを教育する重要な役割を果たしています。一度再発すると、さらに再発を繰り返す可能性が高く、手術による罹患率も高まります。チームがこれらの点について教育し、病気やさまざまな治療オプションの限界についての認識を高めることで、TKI 治療率の向上にもつながると考えています。

Matt：ミシエルのコメントに続けてもう一つ付け加えると、私たちのプレゼンテーションで強調したように、重要なのは腫瘍が治療にどのように反応するかだけでなく、患者さんがどのように反応されるかも重要です。患者さんがどのように感じられ、機能するかが、臨床的なニーズを持つ患者さんにとって薬を魅力的にする要因です。

ROMVIMZA で治療された患者さんにおいて、可動域、身体機能、疼痛などの臨床的な評価を含むすべての主要な二次エンドポイントで統計的な改善が示されたことを非常に喜んでいます。これらのエンドポイントは、製品の米国ラベルに組み込まれています。これは非常に差別化された製品であり、患者の感じ方や機能の質を評価する臨床的なアウトカム評価を含めることは通常高いハードルがありますが、腫瘍サイズの放射線学的な減少だけでなく、患者さんにとってより意味のあるものです。これが薬を魅力的にする特性となるでしょう。

酒井：ありがとうございます、よく分かりました。

井村：続きまして、ウェブでご参加の Pathology Associates の Dion さん、よろしくお願いします。

Dion：Matt さん、TKI が慢性 GVHD に対してどのように作用するのか、そのメカニズムについて少しお話しいただけますか。特に経口薬として非常に興味深い機会です。そして、Margarida、ビムセルチニブのさまざまな市場での独占性や、ヨーロッパでの規制プロセスのタイムラインについても話してもらえますか。

Matt : まず、慢性 GVHD における ROMVIMZA またはビムセルチニブの作用機序についてお話しします。慢性 GVHD は、骨髄移植を受けた患者さんで、移植された細胞が宿主組織を攻撃し始める状態です。これは、同種骨髄移植を受けた患者さんの 30%から 50%に発生する合併症です。これらの患者の標準治療はステロイドですが、ステロイドは慢性的な免疫抑制剤として多くの合併症を伴う可能性があります。

これまでの数年間で、他の薬剤が調査され、異なる経路を標的とすることで複数の薬剤が承認されました。実際、BTK 阻害剤であるイブルチニブは米国で慢性 GVHD に承認されています。JAK2 キナーゼである JAKAVI も米国で慢性 GVHD に承認されています。最近では、ROCK-1/2 阻害剤である REZUROCK も承認されています。

しかし、線維芽細胞やマクロファージ、マクロファージ由来の線維芽細胞が、既存の治療法では十分に対応できない慢性 GVHD の特定の症状に関与している可能性があります。特に、皮膚硬化症や閉塞性細気管支炎、GVHD の合併症としての肺の線維症に苦しんでいる患者さんは、既存の治療法では十分に対応できていません。この病気において CSF1 受容体を発現する炎症性マクロファージを阻害することで、ROMVIMZA がこの病気に有用な薬剤となる可能性があると考えています。

これは、最近米国で慢性 GVHD に承認された CSF1 受容体に対する抗体であるアクサチリマブの承認によって示されました。しかし、この薬剤は 2 週間ごとに 30 分間の静脈内投与が必要です。この経路の重要性と、経口薬の必要性を示しています。

Margarida : ヨーロッパについてですが、昨夏、Deciphera は欧州医薬品庁への申請が承認されたことを発表しました。それ以来、製品は審査中であり、EMA と密接に連絡を取っています。EMA の承認には具体的なタイムラインはありませんので、当局との議論を非常に注意深く追っています。情報が得られ次第、コメントし、公開することを楽しみにしています。

独占性に関するあなたの質問については、まだ公表していない情報ですので、現時点では開示していません。

井村 : 最後に 6 月 4 日の R&D 説明会についてお知らせします。6 月の ASCO で、チラブルチニブの発表を予定しておりますので、それを皆様にご紹介させていただく機会をもうけたいと思っています。

以上をもちまして、ROMVIMZA を中心といたしました R&D 説明会を終わらせていただきます。本日は朝早くから長時間にわたりまして、ご参加いただきまして誠にありがとうございました。