



Innovation today, healthier tomorrows

# スミトバント説明会

---

2021年3月23日

大日本住友製薬株式会社

## 将来予測に関する事項

- 本資料には、当社グループに関する業績その他の予想、見通し、目標、計画その他の将来に関する事項が含まれています。これらの事項は、作成時点において入手可能な情報による当社の仮定、見積り、見通しその他の判断に基づくものであり、既知または未知のリスクおよび不確実性が内在しています。
- したがって、その後のさまざまな要因により、予想・計画・目標等が記載どおりに実現しない可能性や、実際の業績、開発の成否・進捗その他の見通し等が記載内容と大きく異なる結果となる可能性があります。
- 医薬品（開発中のものを含む）に関する情報が含まれていますが、その内容は宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

# 本日のアジェンダ

1	はじめに	代表取締役社長	野村 博 5分	P3~P5
2	スミトバント社のポートフォリオについて	スミトバント社 CEO	Myrtle Potter 25分	P6~P30
3	デジタルトランスフォーメーション (DX) について	スミトバント社 CIO、 大日本住友製薬グループ CDO	Dan Rothman 15分	P31~P60
4	DrugOMEについて	スミトバント社 Chief Algorithmic Analytics Officer	Bill McMahon 10分	P61~P69
5	スミトバント社への期待とR&D面のシナジー	取締役 常務執行役員 CSO	木村 徹 10分	P70~P79
6	質疑応答		50分	

# はじめに

代表取締役社長  
野村 博

はじめに

## ビジネスモデルとロイバント社との戦略的提携

- ✓ 研究開発領域に「価値にフォーカスしたベストインクラス」を追加
- ✓ デジタルトランスフォーメーション (DX) を加速



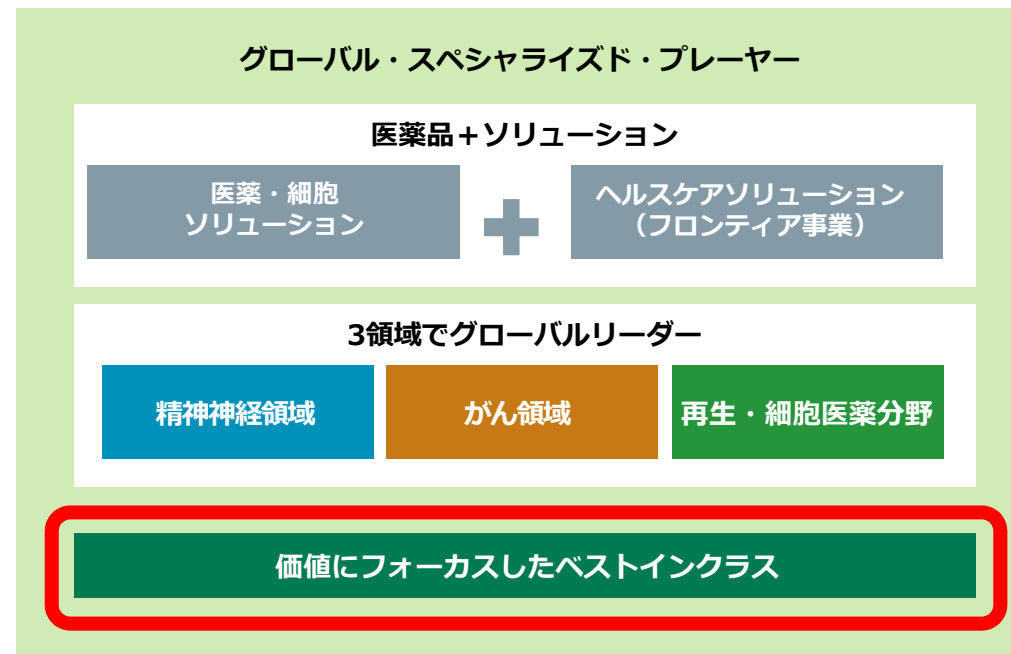
持続的な成長を実現

- ロイバント社との戦略的提携で、将来のブロックバスター候補となる後期開発品のレルゴリクス、ビベグロンなどを獲得
- 事業リスクを分散し、ファーストインクラス創薬に持続的に投資することを可能にする

### ファーストインクラス創薬の機会とリスク

- ✓ 研究重点3領域である精神神経領域、がん領域、再生・細胞医薬分野は、アンメット・メディカル・ニーズが高く、当社の強みを発揮できる領域である一方、研究開発の難易度、不確実性が高い
- ✓ ファーストインクラス創薬に挑戦する3領域だけで新薬を開発・上市し続けるのは困難

### 2033年の目指す姿



ベストインクラス：既存薬はあるが、その既存薬に対して明確な優位性を持つ新薬のこと

はじめに

## ビジネスモデルとロイバント社との戦略的提携



- ✓ 研究開発領域に「価値にフォーカスしたベストインクラス」を追加
- ✓ デジタルトランスフォーメーション（DX）を加速



**持続的な成長を実現**

### DX戦略

中期経営計画2022において、DXを「成長エンジン」および「柔軟で効率的な組織基盤」の一つと位置づけ

- ✓ ロイバント社との戦略的提携で、DrugOMEおよびDigital Innovationのプラットフォームと人材を獲得し、ビジネス価値の創出・向上にフォーカスしてDXを加速
- ✓ ビジネス上の課題解決の促進、デジタル人材の育成

- 各部門においてDXを推進（一部はCOVID-19の影響により加速）

- ✓ 研究開発におけるAI創薬やDrugOME、Digital InnovationなどのDXを推進（日米）
- ✓ COVID-19に対応するテレワーク体制構築や社内手続き業務の電子化などのオペレーション改革の加速（日本）
- ✓ MRによるオンライン形式の面談などの情報提供活動におけるデジタルツールの活用（日米中）

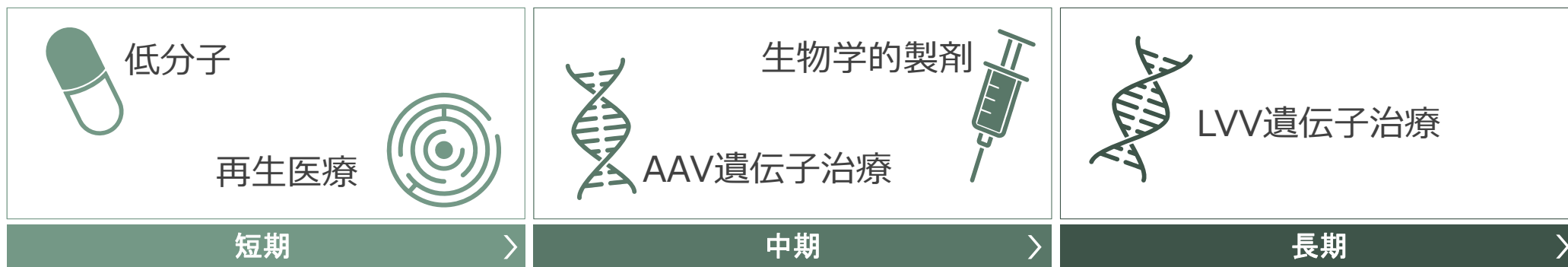
# スミトバント社のポートフォリオについて

スミトバント社 CEO  
Myrtle Potter

# スミトバント社のポートフォリオについて

## スミトバント社の戦略

### モダリティ/テクノロジー



### スミトバント社のVision/ Mission / Values

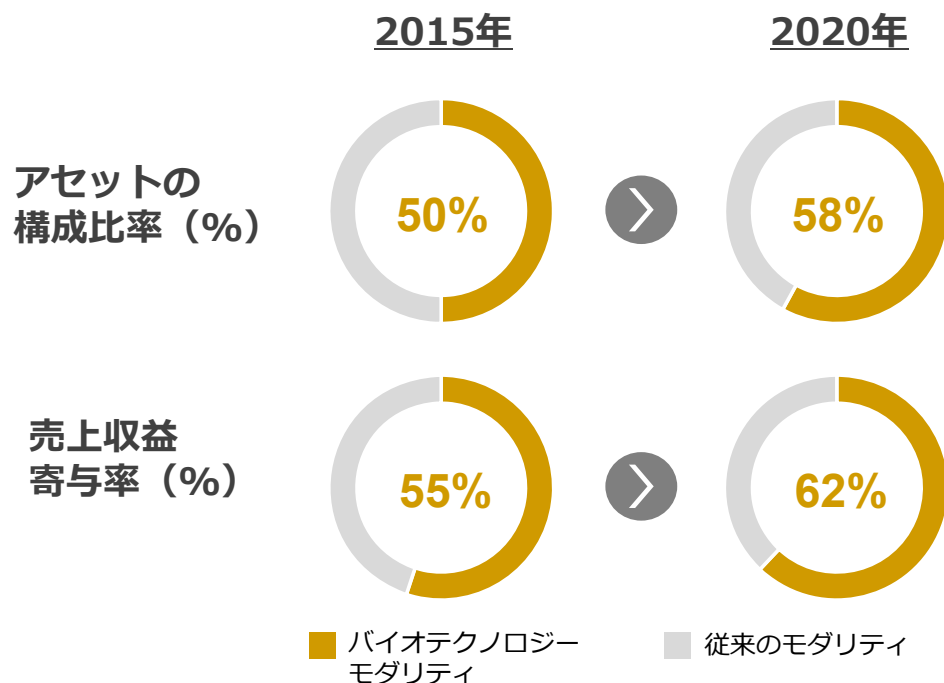
- 人生をより良く豊かに
- アンメット・メディカル・ニーズに応える
- 患者さんファースト
- 品質にコミットする
- テクノロジーを活用して、より賢明に、より速く、より良い製品を
- 多様性、インクルージョン、公平性



# バイオテクノロジーモダリティは 医薬品産業の売上収益と成長の多くを占める

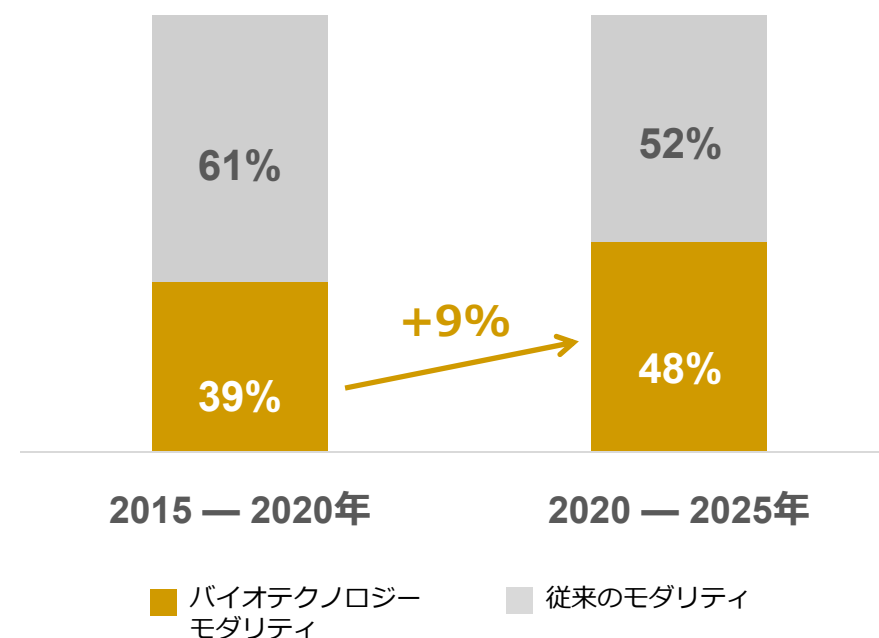
バイオテクノロジーモダリティは  
世界での売上収益上位の治療法になりつつあり  
平均してアセット当たりの平均売上収益は増加している<sup>1</sup>

## 世界での売上収益が上位50の治療薬



世界の全治療薬の売上増加分における  
バイオテクノロジーモダリティの割合は  
今後4年間増加すると見込まれる

## 世界の治療薬の売上増加分における バイオテクノロジーモダリティの寄与する割合<sup>2</sup>



(1) 2015年と2020年における世界での売上収益が上位50の治療薬

(2) 2015年から2020年に伸長し、2020年から2025年に伸長が見込まれる治療法の世界的な収益

バイオテクノロジーモダリティ：モノクローナル抗体、組換えタンパク質、遺伝子組み換えワクチン、細胞療法、DNA・RNA治療、遺伝子治療、腫瘍溶解性ウイルス

従来のモダリティ：他のすべての治療薬（90%は低分子）

出典：EvaluatePharma, February 4, 2021

## スミトバント社のポートフォリオについて



# スミトバント社のパイプラインのサマリー

スミトバント社は、多くのモダリティ（67%がバイオテクノロジーモダリティ）、多くの適応症で構成される多様な開発パイプラインで、患者さんのアンメットニーズに応えていく

	化合物	モダリティ	適応症	治療分野	開発フェーズ	マイルストーン（日付 <sup>1)</sup>
	レルゴリクス	低分子	進行性前立腺がん	がん	米国 FDA承認済	米国 FDA承認（2020年12月18日） 欧州 MAA申請（2021年1~3月）
		低分子（配合剤）	子宮筋腫	婦人科	米国 NDA受理 欧州 MAA申請済	米国 FDA審査終了目標日（2021年6月1日） 欧州 MAA決定（2021年中頃）
			子宮内膜症	婦人科	フェーズ3試験	米国 NDA申請（2021年前半） 欧州 MAA申請（2021年）
	MVT-602	オリゴペプチド	女性の不妊症	婦人科	フェーズ2試験	フェーズ2a試験結果（2019年6月）
	ビベグロン	低分子	過活動膀胱（OAB）	泌尿器科	米国 FDA承認済	米国 FDA承認（2020年12月23日）
			前立腺肥大を伴うOAB	泌尿器科	フェーズ3試験	トップライン結果（2022年6月）
	URO-902	遺伝子治療	過活動膀胱	泌尿器科	フェーズ2a試験	DSMBが試験継続を推奨 <sup>2)</sup> （2021年2月）
	RVT-802	再生医療	小児先天性無胸腺症	希少疾患	BLAへの審査結果通知を受領済み	BLA再申請（2021年）
	rodatristat ethyl	低分子	肺動脈性肺高血圧（PAH）	呼吸器	フェーズ2b試験	試験開始（2021年3月）
	ALTA-2530	組換えタンパク質	閉塞性細気管支炎症候群（BOS） 化学物質による肺障害（BARDA <sup>3)</sup> 、NIAID <sup>3)</sup> との提携）	呼吸器	前臨床	IND申請（2023年）
	SP-101	遺伝子治療（AAV）	嚢胞性線維症	呼吸器	前臨床	IND申請（2022年）
	SP-102	遺伝子治療（LVV）	嚢胞性線維症	呼吸器	前臨床	IND申請（2025年）

(1) Calendar Year、(2) FDAのData and Safety Monitoring Board（DSMB）は、過活動膀胱（OAB）および切迫性尿失禁（UII）を呈する患者を対象としたURO-902のフェーズ2a試験の継続を推奨した

(3) BARDA: Biomedical Advanced Research and Development Authority、NIAID: National Institute of Allergy and Infectious Diseases

# ORGOVYX™ (レルゴリクス) ・レルゴリクス配合剤について

成人の進行性前立腺がん治療薬としては初めてで唯一の経口GnRH受容体アンタゴニストとして、2020年12月18日にFDAに承認された



製剤写真

製品  
プロ  
ファイル



**作用機序:** GnRH受容体アンタゴニスト



**用法・用量:** 経口、1日目に初回用量として360mgを、その後1日1回120mgを投与

## 現在の標準治療



注射剤



一過性にホルモンを急増させる



PSAを低下させるのに数週間

テストステロン回復までに数カ月を要する



## オルゴビクスの臨床プロファイル



経口



ホルモンの一過性の急上昇が起こらない



PSAの継続的かつ迅速な低下<sup>1</sup>

テストステロンの迅速な回復<sup>2</sup>

(1) 臨床試験ではPSA値をモニタリングし、オルゴビクスの投与から2週間後に平均65%、4週間後に83%、3ヵ月後に92%低下し、48週間の治療期間を通して抑制された

(2) 患者の55%が、オルゴビクス投与終了後90日で、通常のテストステロンレベルの下限 ( $\geq 280\text{ng/dL}$ ) またはベースラインをこえるテストステロンを達成した

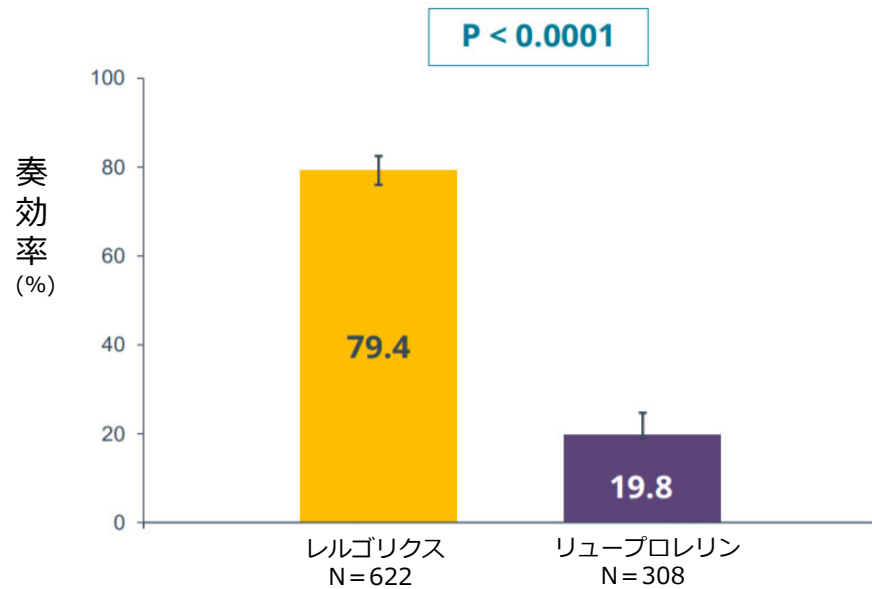
出典: Shore ND, Saad F, Cookson MS, et al. Oral relugolix for androgen-deprivation therapy in advanced prostate cancer. New England Journal of Medicine. 2020 June 4. DOI: 10.1056/NEJMoa2004325

オルゴビクスの処方に関する情報は[www.myovant.com/orgovyx-prescribing-information.pdf](http://www.myovant.com/orgovyx-prescribing-information.pdf)で入手できます

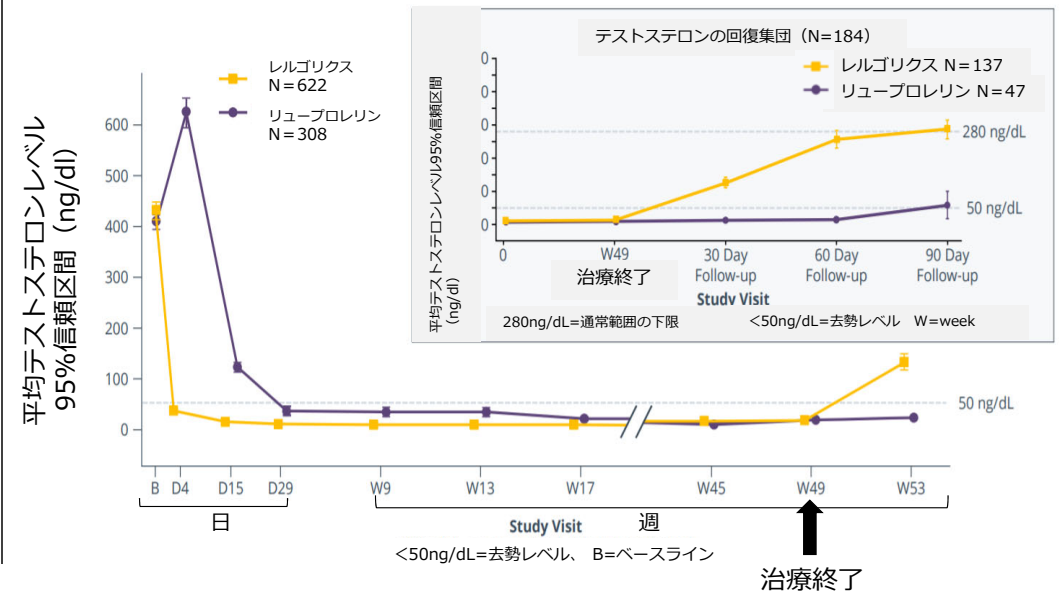
# オルゴビクス: 製品の臨床的特長 (1)

フェーズ3試験 (HERO試験) の結果、PSAの奏効率や継続的なテストステロンの抑制におけるオルゴビクスの良好な有効性が示された

オルゴビクスは投与15日目に、  
大半の患者でより高いPSAの奏効率<sup>1</sup>を達成した



オルゴビクスは一過性のホルモンの急上昇を来さず、迅速にテストステロンを抑制し、90日以内にテストステロンが回復した



(1) PSA半減を投与15日目に達成し、29日目に継続していた患者  
PSA: 前立腺特異抗原

出典: Shore ND, Saad F, Cookson MS, et al. Oral relugolix for androgen-deprivation therapy in advanced prostate cancer. New England Journal of Medicine. 2020 June 4. DOI: 10.1056/NEJMoa2004325

## オルゴビクス: 製品の臨床的特長 (2)

フェーズ3試験 (HERO試験) の結果、オルゴビクスの良好な安全性プロファイルが示された

オルゴビクスの忍容性は概して良好であり、有害事象プロファイルはリュープロレリンと同様

	レルゴリクス (N = 622)	リュープロレリン (N = 308)
ホットフラッシュ	54.3%	51.6%
倦怠感	21.5%	18.5%
便秘	12.2%	9.7%
下痢 <sup>1</sup>	12.2%	6.8%
関節痛	12.1%	9.1%
高血圧	7.9%	11.7%

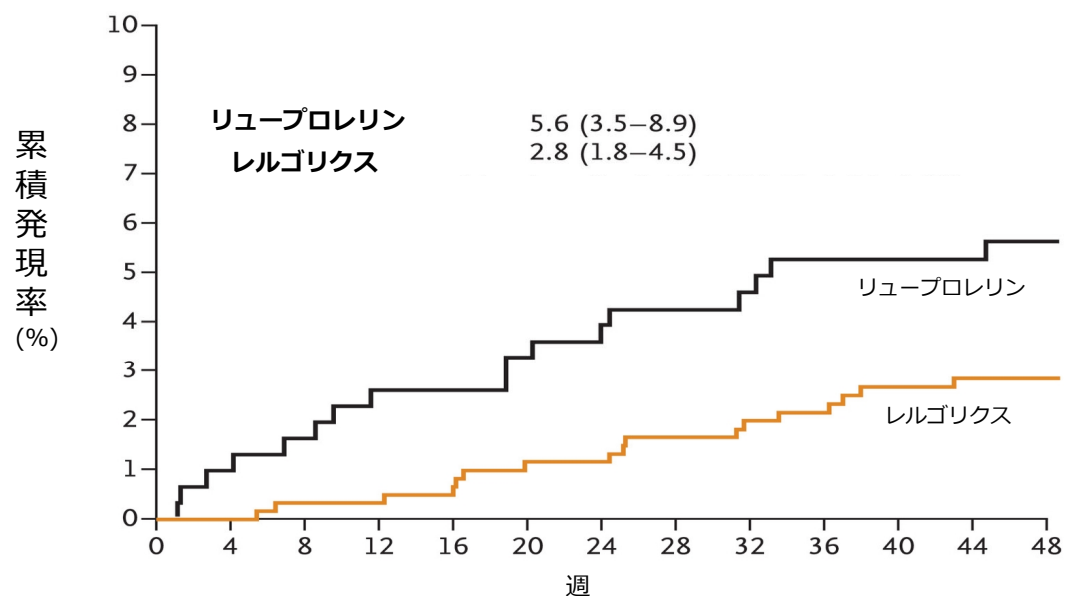
(1) 試験中止に至らなかったグレード1または2の有害事象

出典: Shore ND, Saad F, Cookson MS, et al. Oral relugolix for androgen-deprivation therapy in advanced prostate cancer. New England Journal of Medicine. 2020 June 4. DOI: 10.1056/NEJMoa2004325

## オルゴビクス: 製品の臨床的特長 (3)

フェーズ3試験 (HERO試験) の結果、主要な心血管系イベント (MACE) の発現率を含むオルゴビクスの良好な安全性プロファイルが示された

### 48週間後の主要な心血管系イベント (MACE) の累積発現率



評価対象患者数													
リュープロレリン	308	305	303	298	298	293	292	288	281	279	278	269	259
レルゴリクス	622	621	616	610	605	596	595	588	582	575	563	559	538

(1) 試験中止に至らなかったグレード1または2の有害事象

出典: Shore ND, Saad F, Cookson MS, et al. Oral relugolix for androgen-deprivation therapy in advanced prostate cancer. New England Journal of Medicine. 2020 June 4. DOI: 10.1056/NEJMoa2004325

## スミトバント社のポートフォリオについて オルゴビクス: 発売について

マイオバント社は2021年1月4日に、米国でオルゴビクスを発売し、**マイオバント社の100人のsales reps**が処方医師へ積極的にプロモーション活動をするなど、発売時に優先度の高い課題に取り組んでいる

**ORGOVYX™**  
(relugolix) 120 mg tablets



処方医師への  
プロモーション



広範なアクセス  
を確立する



患者さんへの  
働きかけ

2020年12月に公表したマイオバント社とファイザー社とのコラボレーションは、**ファイザー社の100人の泌尿器・腫瘍科の販売チーム**や販売インフラ、専門性の活用により、オルゴビクスの立ち上がりを加速させ、商業的なポテンシャルを最大化する可能性がある



- ファイザー社は、アンドロゲン除去療法と併用される有力な前立腺がん治療剤**XTANDI®**の販売活動を通じて、前立腺がん市場で成功している
- ファイザー社の2020年の米国におけるXTANDI®の売上収益は**10億ドル**であった<sup>1</sup>
- COVID-19のパンデミックにもかかわらず、2020年の米国でのXTANDI®の伸長率は**22%**であった<sup>1</sup>
- ファイザー社とのコラボレーションにより、オルゴビクスの大型化が期待される

(1) ファイザー社 2020年第4四半期決算プレスリリース  
XTANDI® は、Astellas Pharma Inc.の登録商標で、Astellas Pharma Inc.とファイザー社が共同開発・販売しています



# オルゴビクス: 処方医師へのプロモーションについて

## 主要顧客からのオルゴビクスの処方につながる初期の進捗状況

### 処方医師へのプロモーション

### 広範なアクセスを確立する

### 患者さんへの働きかけ

## Clinical

医療従事者にオルゴビクスの臨床プロファイルに関するプロモーションを行い、処方意向を醸成する

- 発売以降、医療従事者への活動<sup>1</sup>は、1万回を超える
- 発売以降、マイオバント社の営業チームは、医師やオピニオンリーダーに対して有意義な交流<sup>2</sup>を行ってきた



## Economic

院内処方施設に承認された契約条件を提供

- 院内処方施設の大部分は契約価格で薬剤を購入できる
- 優先度の高い上位20の主要施設のうち10の主要施設が発注をした
- オルゴビクスを発注した施設の30%は、すでに再発注<sup>3</sup>をしている



## Operational

シームレスなオルゴビクスの処方を実現する

- オルゴビクスを電子処方できるよう、電子カルテに取り込む（採用に向けた先行指標）
- 発売後順調な滑り出しである

(1) 活動は、salesによるコール、orgovyxhcp.comからの資料のダウンロード、医療従事者からの問い合わせとして定義している

(2) 有意義な交流は、患者の治療に直接関与している医療従事者との進行性前立腺がんの治療のためのオルゴビクスの安全性・有効性プロファイルに関する対面またはバーチャルツールを通じた議論として定義している

(3) 発売後6週間以内

# オルゴビクス: 広範なアクセスの確立について

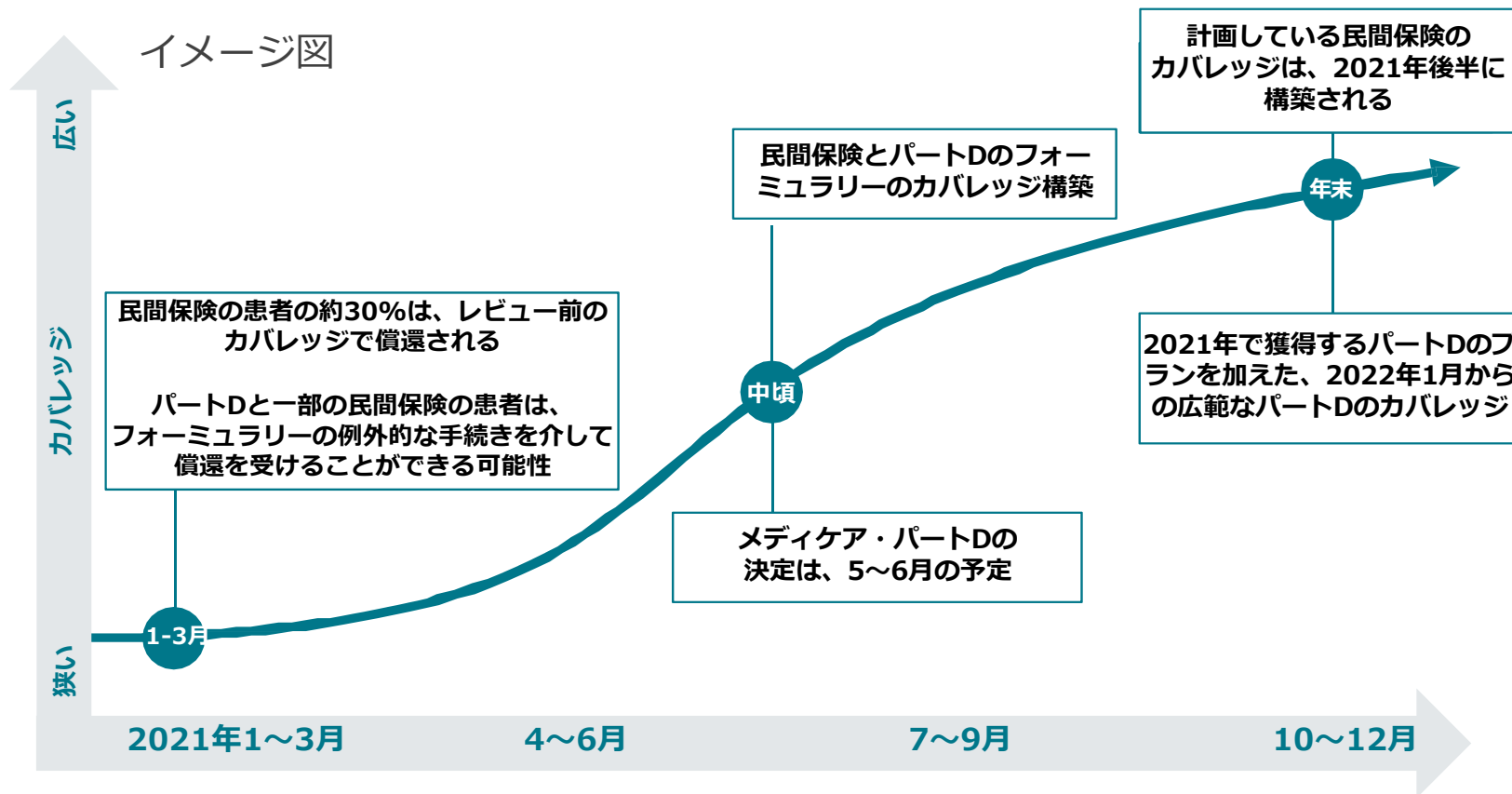
マイオバント社は、2021年の年末までに民間保険とメディケア・パートDによる広範なカバレッジを目指している

処方医師へのプロモーション

広範なアクセスを確立する

患者さんへの働きかけ

イメージ図



- 主要な民間保険やメディケアに積極的に働きかけ、2021年末までに広範なカバレッジ構築を目指す
- 2021年前半に最初の民間保険のフォーミュラリーが決定される予定
- 2022年のメディケア・パートDの入札に向けて2021年1~3月に書類を提出

オルゴビクスは、発売以来、患者さんから高い注目を受けている

処方医師へのプロモーション

広範なアクセスを確立する

患者さんへの働きかけ

## 3.7万人

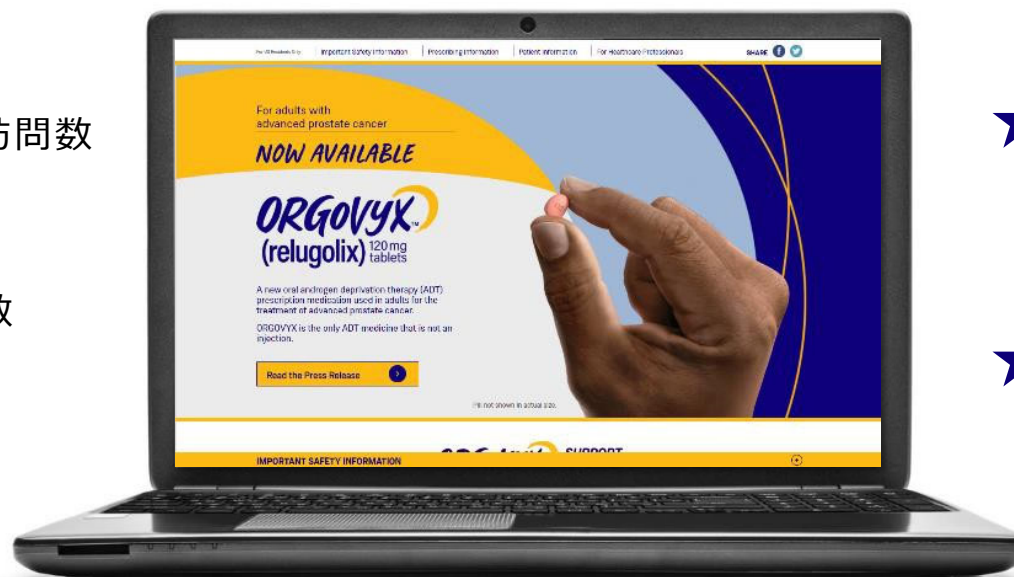
発売以来の製品ウェブサイト  
([ORGOVYX.com](http://ORGOVYX.com)) への訪問数

## 83%

製品ウェブサイトへの訪問数  
のうちユニーク数の割合

## 1分20秒

製品ウェブサイトの  
平均閲覧時間  
DTCのベンチマーク 50秒



★ 訪問数は、一般的ながん治療薬の上市時の4倍以上<sup>1</sup>

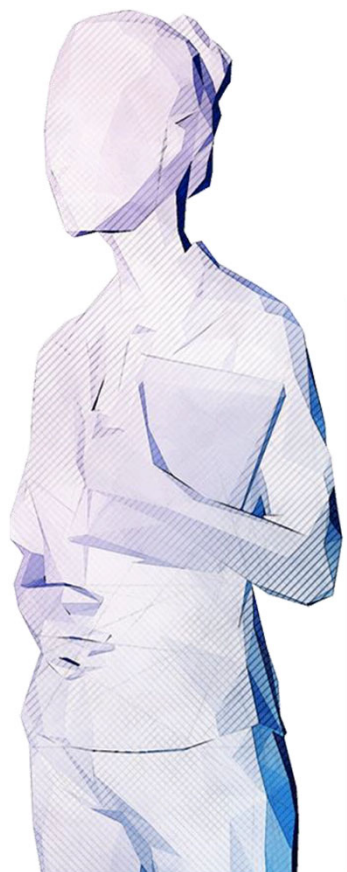
★ 訪問数の17%が、製品ウェブサイトの重要な内容<sup>2</sup>をダウンロードまたはクリック

(1) がん治療薬のDTCのベンチマーク=1日の製品ウェブサイトへの訪問数は175

(2) 患者用パンフレット、医師との相談に関する案内、治療のトラッカー、copyの登録フォーム、プレスリリースおよび患者情報が含まれています

## 婦人科疾患におけるレルゴリクス配合剤

FDAに承認されれば、レルゴリクス配合剤は、子宮筋腫および子宮内膜症に対するベストインクラスの治療薬となる可能性がある



製品  
プロ  
ファイ  
ル



**作用機序:** エストロゲンとプロゲステロンを配合したGnRH受容体アンタゴニスト



**用法・用量:** 経口、1日1回1錠（レルゴリクス40mg + エストラジオール1.0mg + 酢酸ノルエチンドロン0.5mg）

- レルゴリクス配合剤は、婦人科領域においてホルモンに起因する複数の疾患の治療法を大きく前進させる可能性がある
  - 子宮筋腫:**
    - 子宮筋腫を対象としたレルゴリクス配合剤の新薬承認申請のFDAの審査終了目標日は**2021年6月1日**
    - フェーズ3試験（LIBERTY1・2試験）の結果がNew England Journal of Medicineに掲載された
  - 子宮内膜症:**
    - 2021年前半**にFDAに新薬承認申請（NDA）予定
- マイオバント社の婦人科の販売部門とファイザー社の販売部門は、両適応症でレルゴリクス配合剤を共同プロモーションする
- ファイザー社との提携により、消費者向けプロモーション（DTC）におけるファイザー社の専門知識をプロモーションに活用できる



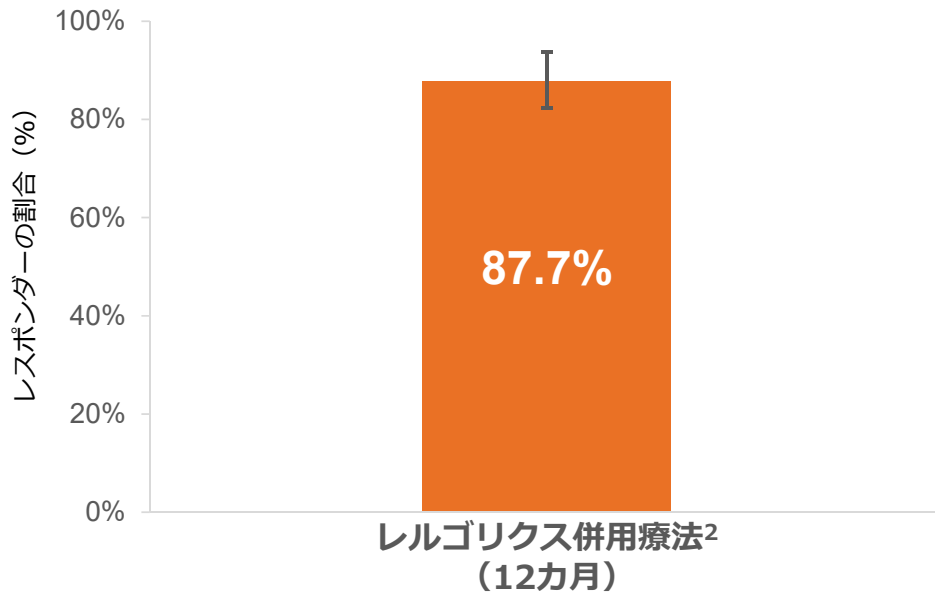
製剤写真

## レルゴリクス併用療法: 臨床プロファイル (子宮筋腫)

レルゴリクス併用療法の投与52週間での有効性・安全性データは、骨の健康を維持しながら臨床的に意味のある経血量の減少を示すという以前のデータと同様であった

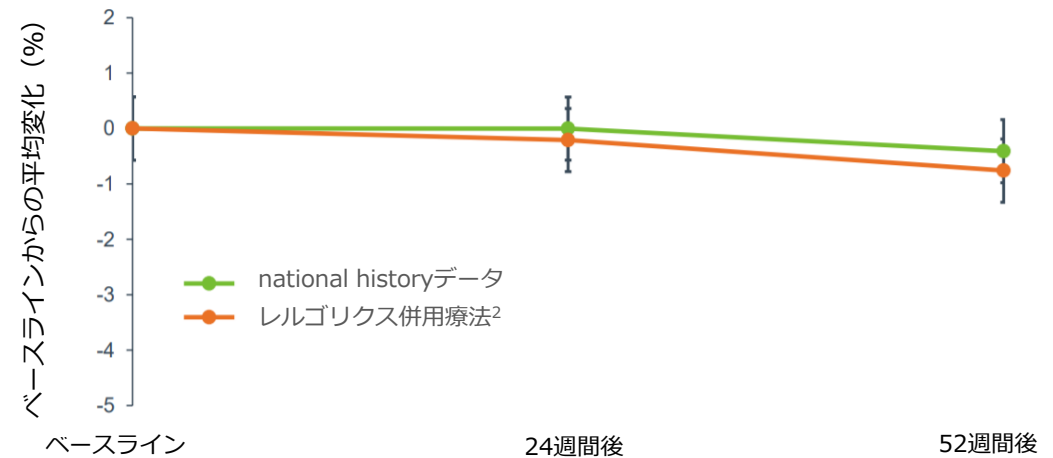
1年間の有効性の主要評価項目を達成し、LIBERTY1・2試験で観察された有効性の持続性を示した<sup>1</sup>

経血量が80mL未満かつベースラインから50%以上減少したレスポナーの割合



腰椎の骨密度は1年を通して維持され、LIBERTY1・2試験の結果と同様である<sup>1</sup>

腰椎の骨密度も、自然史研究の試験データでの子宮筋腫未治療の骨密度と同様であった



(1) Al-Hendy A, et al. LIBERTY: Long-Term Extension Study Demonstrating One-Year Efficacy and Safety of Relugolix Combination Therapy in Women with Symptomatic Uterine Fibroids. Fertility and Sterility. 2020 September. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.fertnstert.2020.08.027>

(2) レルゴリクス40mg +エストラジオール1.0mg +酢酸ノルエチンドロン0.5mg

## レルゴリクス併用療法: 臨床プロファイル (子宮内膜症)

投与52週間後の結果	SPIRIT継続投与試験 <sup>1</sup>	他のGnRH受容体アンタゴニストの継続投与試験 <sup>13</sup>		他のGnRH受容体アンタゴニストの継続投与試験 <sup>23</sup>	
		他のGnRH受容体アンタゴニスト 1日1回投与 (150mg)	他のGnRH受容体アンタゴニスト 1日2回投与 (200mg)	他のGnRH受容体アンタゴニスト 1日1回投与 (150mg)	他のGnRH受容体アンタゴニスト 1日2回投与 (200mg)
用量	1日1回投与 レルゴリクス配合剤 <sup>2</sup> (40mg)				
レスポーターの割合 <sup>4</sup>					
月経困難症	84.8%	52.1%	78.2%	50.8%	75.9%
月経に起因しない 下腹部痛	73.3%	67.1%	69.1%	66.4%	67.2%
全体的な骨盤痛のベースライン からの変化量 (LS Mean) <sup>5</sup>	-3.80	-2.58	-3.09	-2.81	-3.14
骨密度の減少 (腰椎)	-0.81%	-0.63%	-3.60%	-1.10%	-3.91%
ホットフラッシュ	14.4%	29.5%	52.2%	25.4%	55.0%

注記:異なる評価尺度で実施された臨床試験を比較する場合は、注意が必要です

(1) SPIRIT Phase 3 long-term extension clinical trial、(2) レルゴリクス40mg + エストラジオール1.0mg + 酢酸ノルエチンドロン0.5mg、(3) 他のGnRH受容体アンタゴニストのフェーズ3継続投与試験  
 (4) レスポーターの割合は、各種の痛みにおいて臨床的に意義のある減少を示し、鎮痛薬の使用が増加していない割合。SPIRIT試験および他のGnRH受容体アンタゴニストの試験では異なるレスポーターの閾値が使用されている  
 (5) 11段階からなるNumerical Rating Scaleで表した全体的な骨盤痛のベースラインからの変化量で、10は「最悪の痛み」、0は「無痛」を表す

## GEMTESA<sup>®</sup> (ビベグロン) について

## スミトバント社のポートフォリオについて ジェムテサ: 製品プロフィール

ジェムテサ（ビベグロン）は、成人の切迫性尿失禁、尿意切迫感および頻尿の症状を伴う過活動膀胱（OAB）を適応症として、2020年12月23日にFDAより承認を取得した



V75

製剤写真

製品  
プロ  
ファイ  
ル



**作用機序:** 選択的ヒトβ3アドレナリン受容体作動薬



**用法・用量:** 75mg錠を1日1回1錠

ジェムテサは、OAB患者にとって魅力的な治療オプションとなる治療薬です

**GEMTESA®**

右の特長を備えるFDAが承認した  
唯一のβ3アゴニスト

- ✓ 単一用量、粉砕できる錠剤
- ✓ 用量調整を必要としない<sup>1</sup>
- ✓ 尿意切迫感回数のデータが添付文書に記載されている
- ✓ 血圧上昇の警告がない
- ✓ CYP2D6に関する薬物間相互作用の警告がない

(1) 患者さんは、75mgを有効性のある開始用量として処方される  
出典: GEMTESA® U.S. FDA label for the treatment of overactive bladder  
ジェムテサの処方情報はwww.gemtesa.comで入手できます



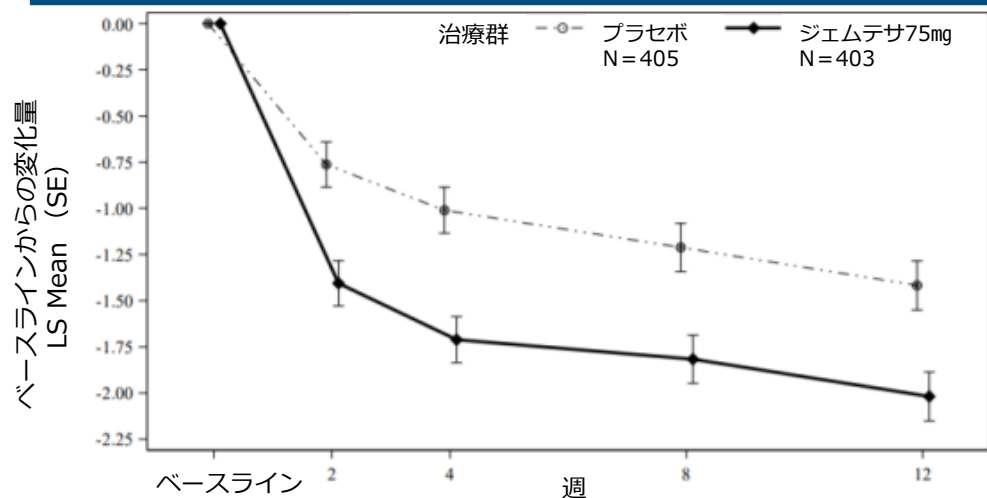
# スミトバント社のポートフォリオについて

## ジェムテサ: 製品の臨床的特長



ジェムテサのフェーズ3試験（EMPOWUR試験）は、良好な安全性プロファイルを維持しながら尿失禁に対する有効性が持続するなどの良好な臨床プロファイルを示した

24時間あたりの切迫性尿失禁エピソードの平均数のベースラインからの変化量<sup>1</sup>



	ベースラインの平均値	ベースラインからの変化量 <sup>2</sup>
ジェムテサ (75mg)	3.4 (403)	-2.0 (383)
プラセボ	3.5 (405)	-1.4 (372)

ジェムテサの忍容性は良好で、高血圧を含む有害事象発現率はプラセボと同程度であった<sup>3</sup>

特に注目される有害事象 <sup>2,3,4</sup>	プラセボ (n=540)	ジェムテサ (n=545)	トルテロジン (n=430)
高血圧	9 (1.7)	9 (1.7)	11 (2.6)
血圧上昇	5 (0.9)	4 (0.7)	8 (1.9)
頻脈	0	0	1 (0.2)
低血圧	1 (0.2)	1 (0.2)	1 (0.2)
めまい	6 (1.1)	5 (0.9)	4 (0.9)
尿路感染症	33 (6.1)	27 (5.0)	25 (5.8)
尿閉	2 (0.4)	3 (0.6)	3 (0.7)
口渇	5 (0.9)	9 (1.7)	28 (6.5)
便秘	7 (1.3)	9 (1.7)	6 (1.4)
倦怠感	5 (0.9)	2 (0.4)	6 (1.4)

(1) 米国FDAが承認した過活動膀胱治療剤ジェムテサの添付文書、(2) 12週時点、(3) Staskin D, Frankel J, Varano S, et al. Phase 3 EMPOWUR results. The Journal of Urology. Volume 204. Issue 2. August 2020. Page: 316-324、(4) List of adverse events is not exhaustive and is focused on potential cardiovascular and anti-cholinergic effects

## ジェムテサ: 発売に向けた目標について

ユーロバント社は2021年4月にジェムテサを米国で発売予定



GEMTESA®

### ブランドビジョン

ジェムテサをOAB患者さんのためのベストインカテゴリーの治療オプションとして確立する

1

泌尿器科に焦点を当てた発売活動

2

長期療養施設のOABに対する活動を確立

3

プライマリ・ケアにおけるOAB患者の取り込みを拡大

4

患者さんと医療従事者のためのアクセスと適正価格を確立・維持

5

OAB患者さんの意識向上、教育、アドボカシーを推進

# スミトバント社のポートフォリオについて

## ジェムテサ: 発売について

ユーロバント社は、ジェムテサの発売に向けて精力的に準備中

ジェムテサの主な販売戦略:



泌尿器科専門医、長期療養施設、処方頻度の高いプライマリ・ケア医を対象としたフルスケールの営業体制

- **ユーロバント社の160人のsales reps**がこれらのセグメントでプロモーションを実施予定



より多くのプライマリ・ケア医を対象にジェムテサをプロモーションするため、サノビオン社と共同プロモーション契約を締結

- **サノビオン社の90人のsales reps**がこのセグメントでプロモーションを実施予定

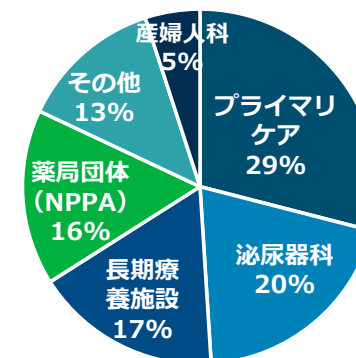


迅速に広範なアクセスを確保するため、市場アクセスチームがペイヤーへの活動を実施



デジタル・ソーシャルメディアを含むマルチチャネル型の販売活動により、患者さんに働きかけ

2018年の専門施設別のOABの処方数量<sup>1</sup>



- 泌尿器科医、長期療養施設、処方頻度の高いプライマリ・ケア医で、すべてのOABの処方の50%以上を占めている
- 泌尿器科医がすべてのβ3アゴニストの30%を処方している
- 泌尿器科医、その他の専門施設、処方頻度の高いプライマリ・ケア医は約100~120人の、長期療養施設は約30~50人のユーロバント社のsales reps (FTE) でカバーできる

(1) IQVIA (IMS) NPA data ending December 2018

## Rodatristat Ethylについて

# Rodatrstat Ethyl: 肺動脈性肺高血圧症 (PAH) 治療のための経口投与疾患修飾剤

PAHは死亡率が高く（5年死亡率<sup>1</sup>が約50%以下）、現在いくつかの利点がある血管拡張薬で治療されているが、疾患の根本的な原因である血管リモデリングに対処できていない

開発フェーズ: フェーズ2b試験 (ELEVATE2試験)

モダリティ: 低分子 (経口)

- トリプトファンからセロトニン (5-HT) への変換を担うトリプトファン水酸化酵素1 (TPH1) を阻害することで、末梢でのセロトニン産生を選択的に減少させるようにデザインされた経口プロドラッグ (血液脳関門の透過は無視できるレベル)
- 動物モデルにおいて、rodatrstat ethyl 単独およびambrisentan との併用は、血管壁厚を顕著に減少させた<sup>2</sup>
- ヒトで用量依存的に尿中5-HIAA (セロトニン代謝物) を低下させており、この成績からフェーズ2b試験の投与量 (300~600mgを1日2回投与) を設定 (目標: 5-HIAAを50%以上低下させる)<sup>3</sup>

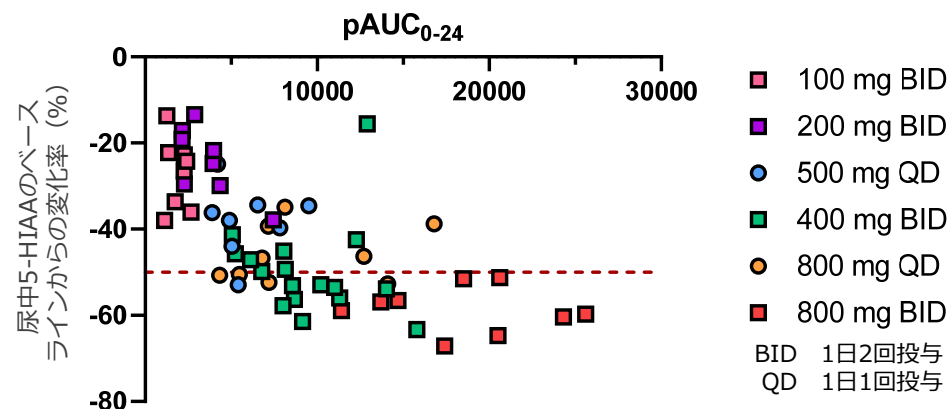
rodatrstat ethyl 単独およびアンブリセンタンとの併用により、SUGEN低酸素モデルの肺血管壁厚を減少させる<sup>2</sup>



投与群	未治療	Sugen-hypoxiaラットモデル			
	溶媒	溶媒	rodatrstat ethyl 単独	rodatrstat ethyl と ambrisentan の併用	ambrisentan と タダラフィルの併用
相対血管壁厚	31%*	100%	71%*	59%*	78%*

\* P<0.0001 = Sugen-hypoxiaラットモデル、溶媒群との比較、各群ラットn=4~12

尿中5-HIAAのベースラインからの変化率 (%) に対するrodatrstat ethylの投与量: 投与14日目のクレアチニン比<sup>3</sup>



(1) Thenappan T., The BMJ; March 2018. (2) Aiello, R.J, Journal of Pharmacology and Experimental Therapeutics 360, 267-279. (3) Wring S et al, European Respiratory Society International Congress; Madrid, Spain

# Rodatristat Ethyl: フェーズ2b試験 グローバル・用量設定試験デザイン

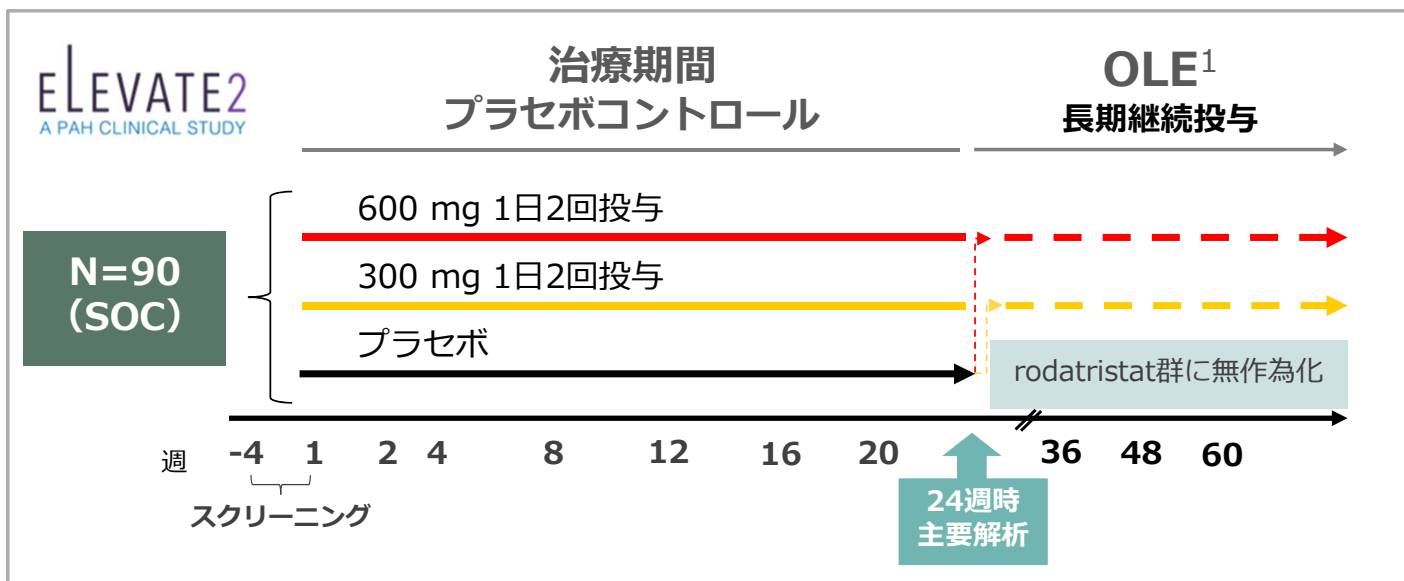
<b>患者選択基準</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>治療を受け12週間以上安定しているWHO機能分類クラスIIまたはIIIのPAH患者90人</li> <li>600mg1日2回投与、300mg1日2回投与、プラセボに、1:1:1の割合で無作為化</li> </ul>
<b>併用薬</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>1~3種類の薬剤による標準的な治療が許可されている（プロスタノイド注入は可能）</li> </ul>
<b>治療期間</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>24週間</li> </ul>

## 主要評価項目（24週時）：

- 肺血管抵抗

## 副次評価項目：

- 血行動態パラメータ
- TTCW（臨床的悪化までの期間）
- 6MWD（6分間の歩行距離）
- バイオマーカー値（NT-proBNP）
- WHO機能分類
- 右室機能（心エコー）
- PAH-SYMPACT（PRO）スコア
- REVEAL 2.0 Liteスコア
- 血漿中および尿中5-HIAAレベル



(1) 患者は、24週間の治療期間の全解析が完了するまで、本試験で受けた治療について引き続き盲検化される  
出典: Clinicaltrials.gov、NT-proBNP: N-terminal pro-Brain Natriuretic Peptide、PRO: Patient Reported Outcomes

## スミトバント社のポートフォリオについて

# スミトバント社のパイプラインのサマリー

スミトバント社は、患者さんのアンメットニーズのある適応症を対象とした、様々な薬剤で構成される革新的なポートフォリオによって、今後数年間で大幅な成長を遂げることを目指している



Vants



上市製品



パイプライン  
のプログラム

11

広範囲にわたるモダリティの  
パイプラインのプログラム



低分子



生物学的製剤



再生医療



遺伝子治療

# デジタルトランスフォーメーション（DX）について

スミトバント社 CIO  
大日本住友製薬グループ CDO  
Dan Rothman



## デジタルトランスフォーメーション

デジタル技術を活用し、当社グループ全体にイノベーションの文化を醸成する



行動変容の推進



社内技術の開発



社外技術プロバイダー  
の活用



技術への最適アプローチ

新しいチームを活用して、戦略的な目標を達成するため連携を推進

新しいチームの導入

DrugOME™



Digital Innovation



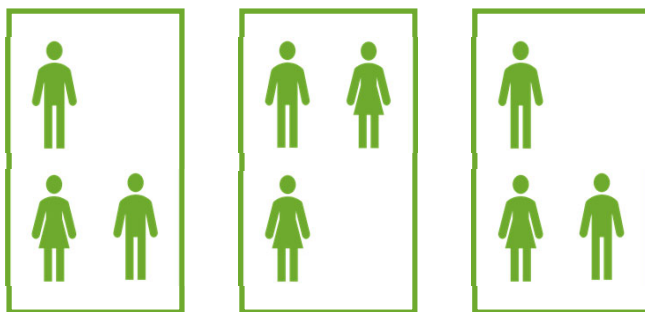
新しいチームを活用して、戦略的な目標を達成するため連携を推進

新しいチームの導入

DrugOME™



Digital Innovation



新しいチームを活用して、戦略的な目標を達成するため連携を推進

新しいチームの導入

DrugOME™



Digital Innovation



新しいチームを活用して、戦略的な目標を達成するため連携を推進

新しいチームの導入

DrugOME™



Digital Innovation



連携の推進



目標の明確化



(1) SDPA : スミトモダイニッポンファーマアメリカ社



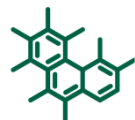
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造

このプレゼンテーションで参照されているデータは架空のものであり、デモンストレーション用にランダムに作成されています



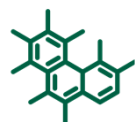
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造

このプレゼンテーションで参照されているデータは架空のものであり、デモンストレーション用にランダムに作成されています

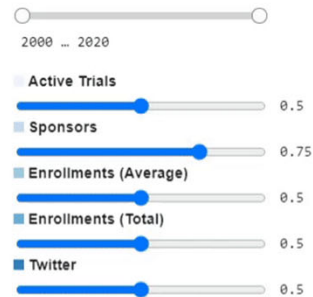


# 販売品の収益増加

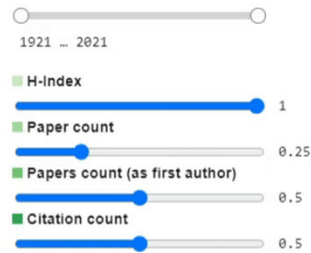
## 各種分析によるKOLへの働きかけの最適化

### KOL Identification

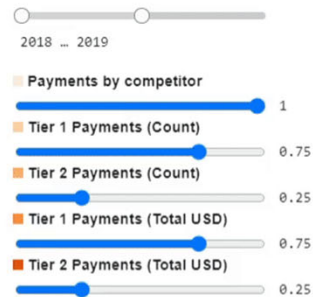
#### Investigators



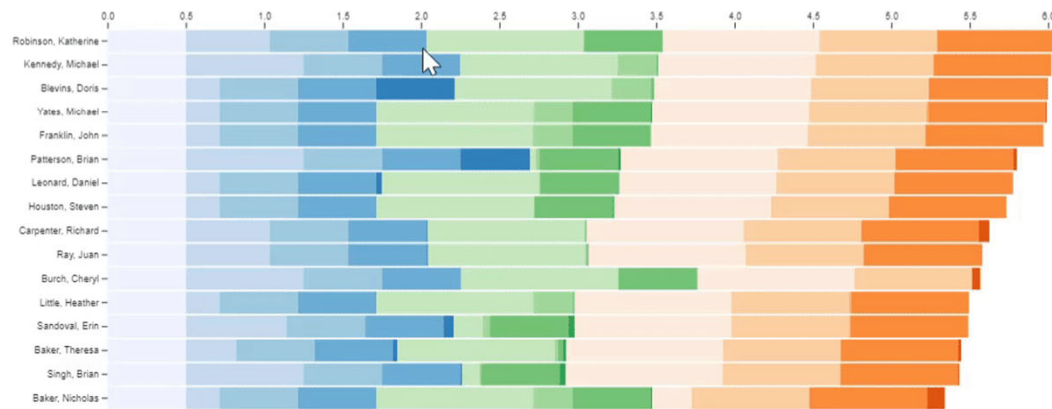
#### Authors



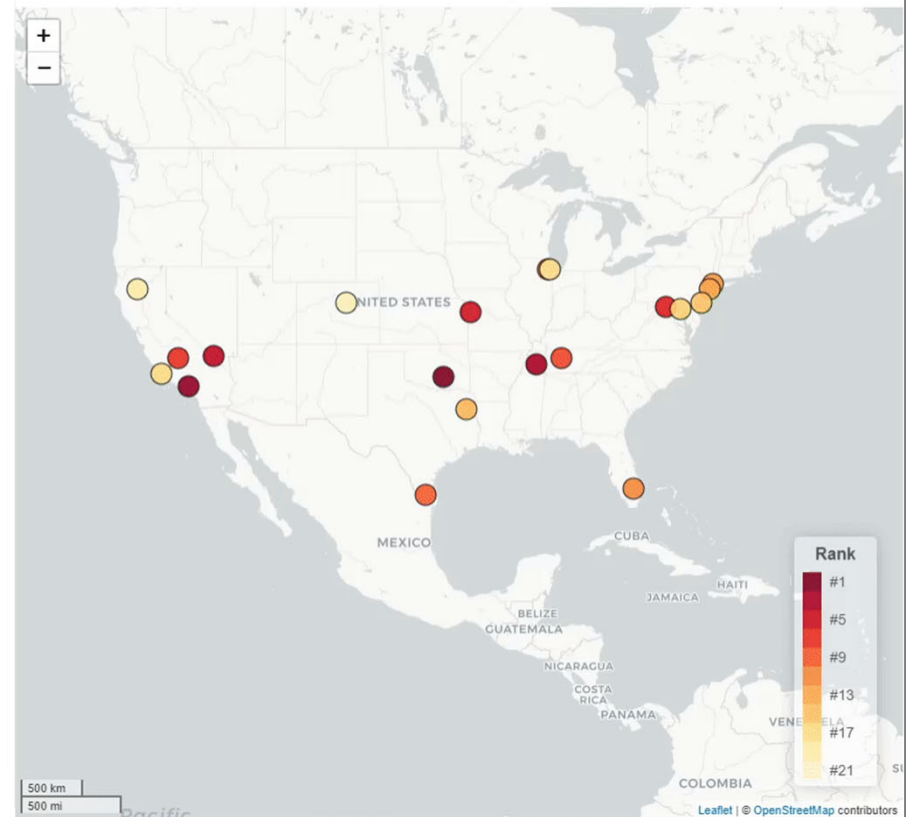
#### Speakers



### Top KOLs by Metric



### Top Ranking KOLs by Location



ここで参照されているすべてのデータは架空のものであり、KOL名を含むすべてのメトリクスは、デモンストレーション用にランダムに作成されています



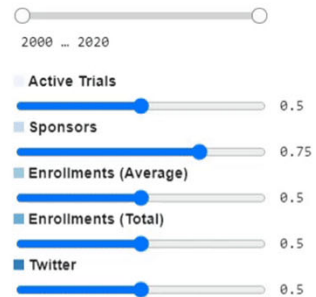


# 販売品の収益増加

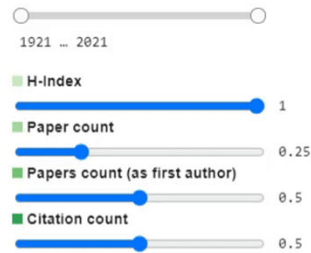
## 各種分析によるKOLへの働きかけの最適化

### KOL Identification

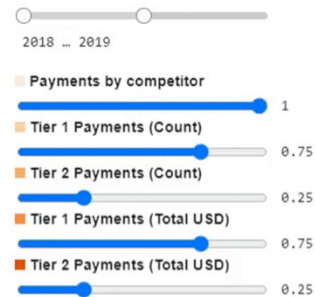
#### Investigators



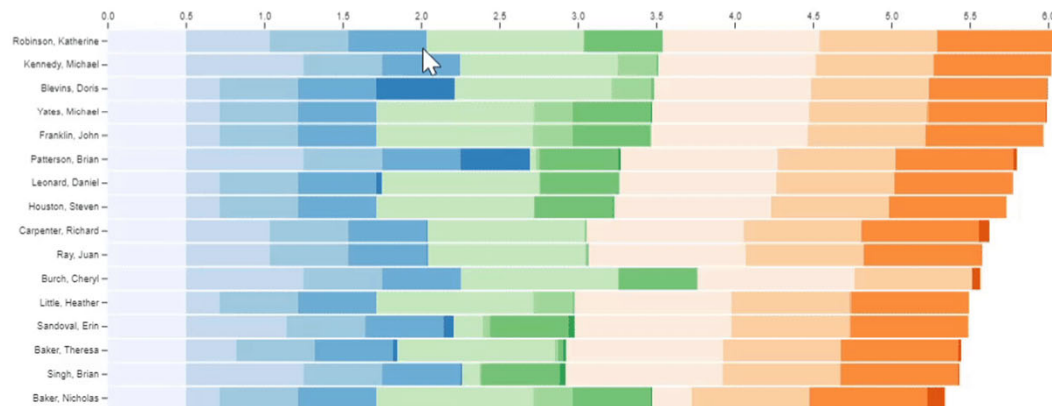
#### Authors



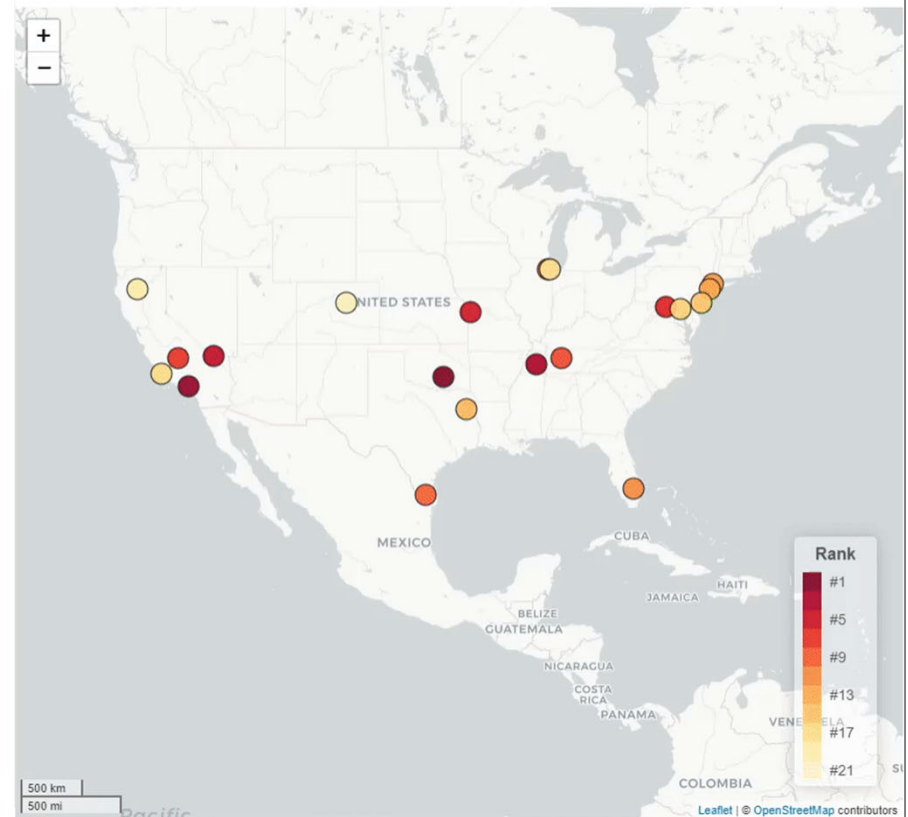
#### Speakers



### Top KOLs by Metric



### Top Ranking KOLs by Location



ここで参照されているすべてのデータは架空のものであり、KOL名を含むすべてのメトリクスは、デモンストレーション用にランダムに作成されています



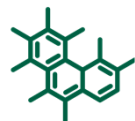
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



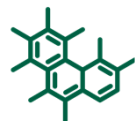
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



# より多くの医薬品をより早く市場に提供

## 機械学習を用いた動物の異常行動の検出

**Agile Summary Viewer**

JSONファイルの選択: T:\DSPrecognition\output\sample.mp4\_result 参照... 読み開始 (ファイル形式は「json」に対応しています)

■異常行動の有無:

■異常行動の種類

forelimb_tremor	<input checked="" type="checkbox"/>
head_shaking	<input checked="" type="checkbox"/>

■異常行動の種類を確認された時間

00:00:01.301	forelimb_tremor	表示
00:00:01.335	head_shaking	表示
00:00:02.069	forelimb_tremor	表示
00:00:02.102	forelimb_tremor	表示

上映のみ



# より多くの医薬品をより早く市場に提供

## 機械学習を用いた動物の異常行動の検出

**Agile Summary Viewer**

JSONファイルの選択: T:\DSPrecognition\output\sample.mp4\_result 参照... 読み開始 (ファイル形式は「json」に対応しています)

■異常行動の有無:

■異常行動の種類

forelimb_tremor	<input checked="" type="checkbox"/>
head_shaking	<input checked="" type="checkbox"/>

■異常行動の種類を確認された時間

00:00:01.301	forelimb_tremor	表示
00:00:01.335	head_shaking	表示
00:00:02.069	forelimb_tremor	表示
00:00:02.102	forelimb_tremor	表示

上映のみ



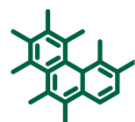
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



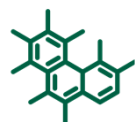
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



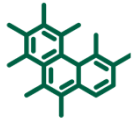
ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



## 統合プラットフォームを用いて関連データを抽出・集計することにより、創薬ターゲットの特定を加速

☰ Change Role Current Role: Discovery Author History

Target Articles

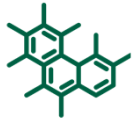
### Articles

Gene Name	UniprotID	Article Title	Published Date	Source	Open
AKT1	P31749	<a href="#">Capiwasertib, an AKT Kinase Inhibitor, as Monotherapy or in Combination with Fulvestrant in Patients with AKT1 (E17K)-Mutant, ER-Positive Metastatic Breast Cancer.</a>	7/28/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">CircRNA_09505 aggravates inflammation and joint damage in collagen-induced arthritis mice via miR-6089/AKT1/NF-kappaB axis.</a>	6/21/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">A mutation analysis of the EGFR pathway genes, RAS, EGFR, PIK3CA, AKT1 and BRAF, and TP53 gene in thymic carcinoma and thymoma type A/B3.</a>	6/19/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">No Association Between AKT1 Polymorphisms and Methamphetamine Addiction in Iranian Population.</a>	5/31/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">Analysis of variants of AKT1 in schizophrenia multiplex families.</a>	5/26/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">High-intensity muscle contraction-mediated increases in Akt1 and Akt2 phosphorylation do not contribute to mTORC1 activation and muscle protein synthesis.</a>	4/30/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">A Biodegradable Mg-Based Alloy Inhibited the Inflammatory Response of THP-1 Cell-Derived Macrophages Through the TRPM7-PI3K-AKT1 Signaling Axis.</a>	4/22/2020	Trend_Analysis	Explore
AKT1	P31749	<a href="#">Juvenile papillomatosis of the breast (Swiss cheese disease) has frequent associations with PIK3CA and/or AKT1 mutations.</a>	3/27/2020	Trend_Analysis	Explore

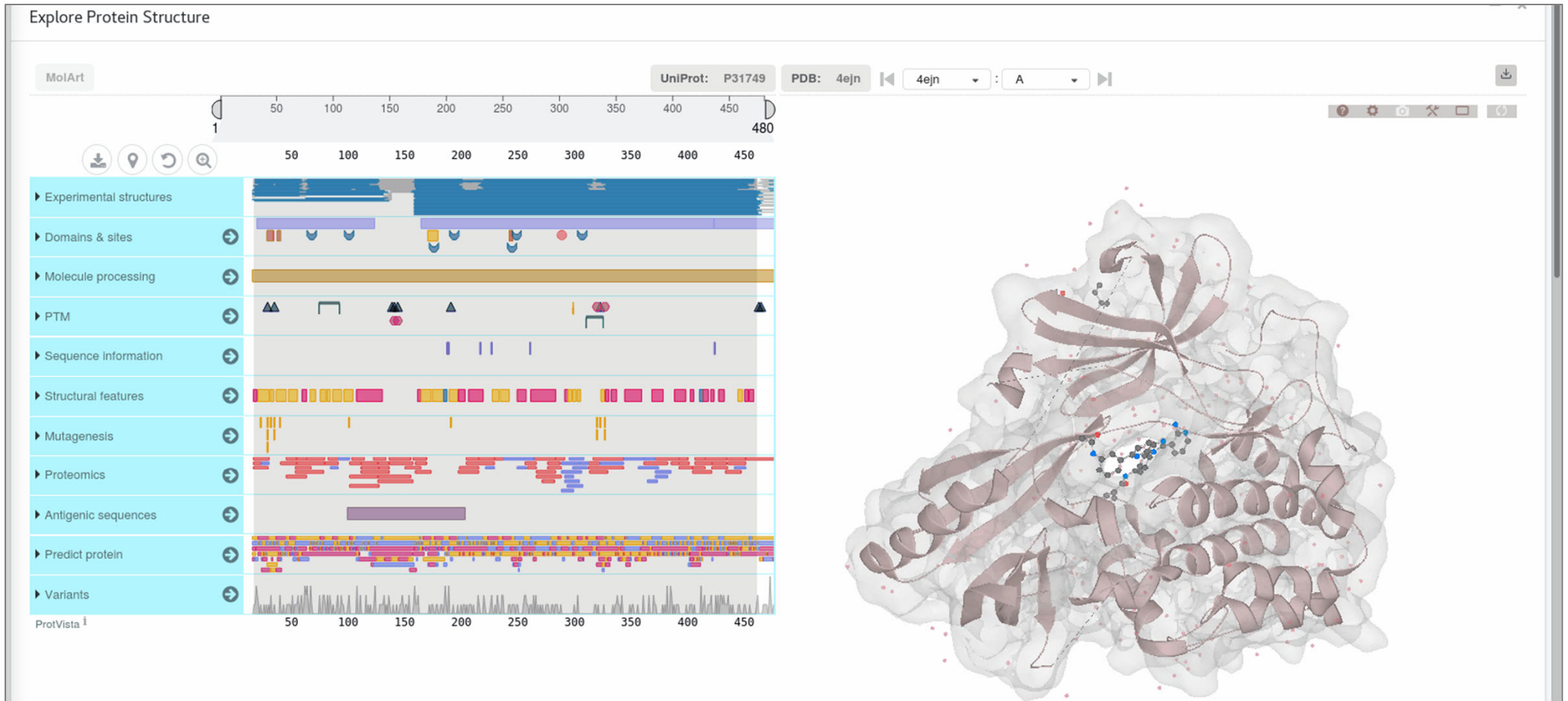
Rows per page: 10 1-10 of 10 |< < > >|

デモンストレーション用にAKT1とその論文を参照しています

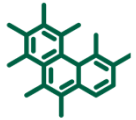




統合プラットフォームを用いて関連データを抽出・集計することにより、創薬ターゲットの特定を加速



AKT1のイメージはデモンストレーション用です



# 創薬プログラムの成功確度向上

統合プラットフォームを用いて関連データを抽出・集計することにより、創薬ターゲットの特定を加速

Rich text editor toolbar with options like Bold, Underline, Cantarell font, and a 'Post Comment' button.

No comments yet

Show Comments

Cancer Score

Change Score: 62

DE Score

Change Score: 38

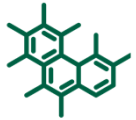
Developmental Stage Score

Change Score: 81

Submit

SDPO, Target explorer © 2021 Version D1.0.2.11

ここに示されているスコアはデモンストレーション用にランダムに作成されています



# 創薬プログラムの成功確度向上

統合プラットフォームを用いて関連データを抽出・集計することにより、創薬ターゲットの特定を加速

Rich text editor toolbar with options for bold, underline, text color, list, table, link, image, video, undo, redo, and help. A text area is below the toolbar, and a "Post Comment" button is at the bottom right.

No comments yet

Show Comments

### Cancer Score

Change Score: 62

### DE Score

Change Score: 38

### Developmental Stage Score

Change Score: 81

Submit

SDPO, Target explorer © 2021

Version DI.0.2.11

ここに示されているスコアはデモンストレーション用にランダムに作成されています



コアビジネスの強化



実行時の提供価値の向上



販売品の収益増加



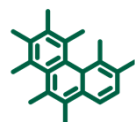
ビジネスオペレーションとプロセスの改善



より多くの医薬品をより早く市場に提供



透明性高い組織間連携の向上



創薬プログラムの成功確度向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



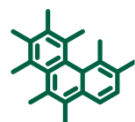
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



# ビジネスオペレーションとプロセスの改善

## アジャイルな実践によるコラボレーションの向上

The screenshot shows a Kanban board interface with the following structure:

- Header:** "Planner および To Do に" with navigation icons on the right.
- Navigation:** "バックでグループ化", "フィルター", "リスト", "ボード" (selected), "グラフ", "スケジュール".
- Columns:**
  - Backlog:** Contains a "+ タスクを追加" button and five task cards: "A-5: リクルート", "A-6: 研修実施", "Story C: データドリブン講座", "Story D: ストーリーテリング講座", "Story E: OKRブラッシュアップ".
  - 直近タスク:** Contains a "+ タスクを追加" button and six task cards: "A-1: 情報収集", "A-2: 大日程作成", "A-3: コンテンツ作成", "A-4: コンテンツレビュー", "Story A: デザイン思考研修" (with sub-tasks: "情報収集", "大日程作成", "コンテンツ作成", "コンテンツレビュー", "リクルート", "研修実施"), "Story B: アジャイル展開".
  - 実施中:** Contains a "+ タスクを追加" button.
  - 停滞中:** Contains a "+ タスクを追加" button.
  - 完了:** Contains a "+ タスクを追加" button.



# ビジネスオペレーションとプロセスの改善

## アジャイルな実践によるコラボレーションの向上

The screenshot shows a Kanban board interface with the following elements:

- Header:** "Planner および To Do に" with search and navigation icons.
- Navigation:** "バックでグループ化", "フィルター", "リスト", "ボード" (selected), "グラフ", "スケジュール".
- Columns:**
  - Backlog:** Contains 5 tasks: "A-5: リクルート", "A-6: 研修実施", "Story C: データドリブン講座", "Story D: ストーリーテリング講座", "Story E: OKRブラッシュアップ".
  - 直近タスク:** Contains 7 tasks: "A-1: 情報収集", "A-2: 大日程作成", "A-3: コンテンツ作成", "A-4: コンテンツレビュー", "Story A: デザイン思考研修" (with sub-tasks: "情報収集", "大日程作成", "コンテンツ作成", "コンテンツレビュー", "リクルート", "研修実施"), "Story B: アジャイル展開".
  - 実施中:** Empty.
  - 停滞中:** Empty.
  - 完了:** Empty.
- Buttons:** Each column has a "+ タスクを追加" button.



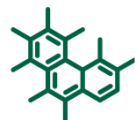
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造





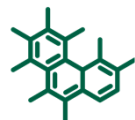
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



透明性高い組織間連携の向上

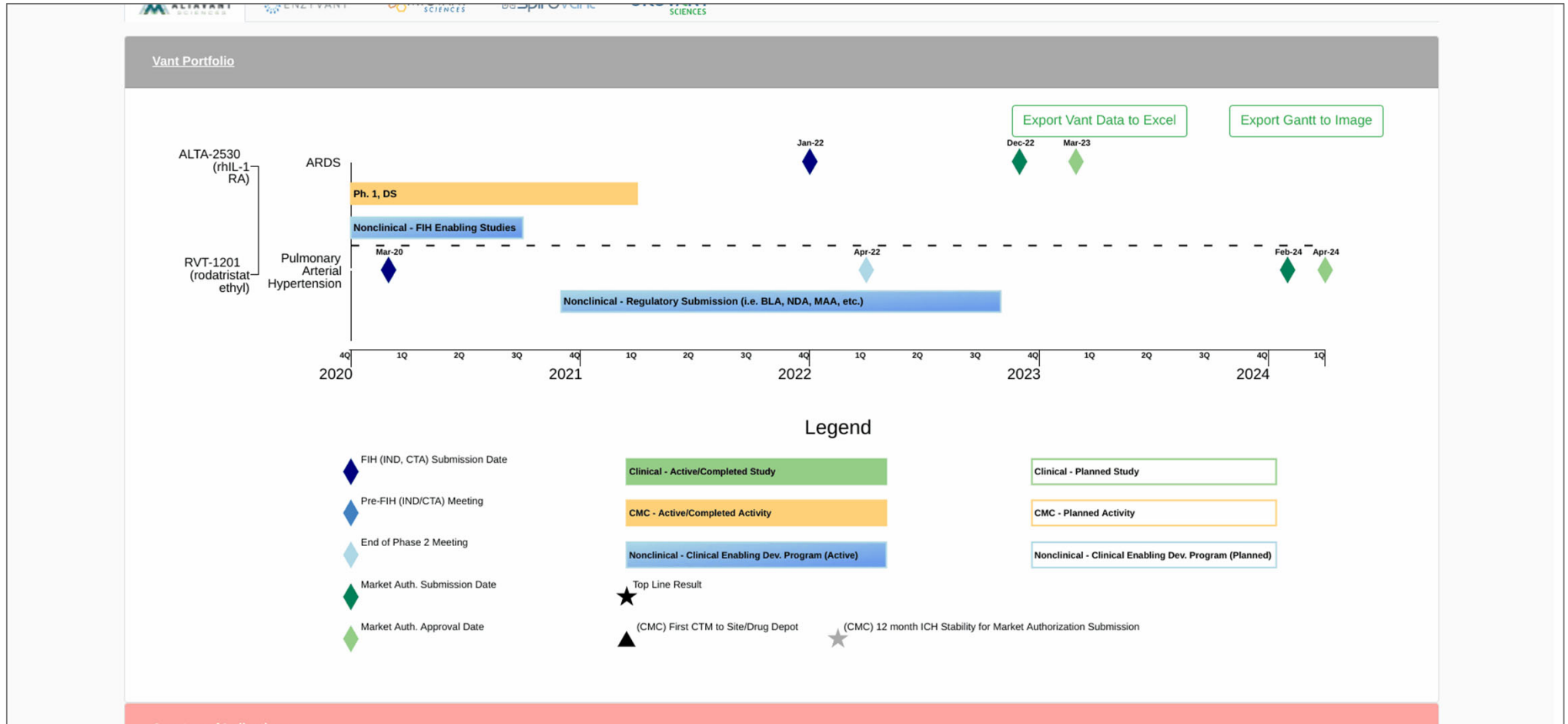


ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造



# 透明性高い組織間連携の向上

## 情報共有システムを活用した見える化の推進

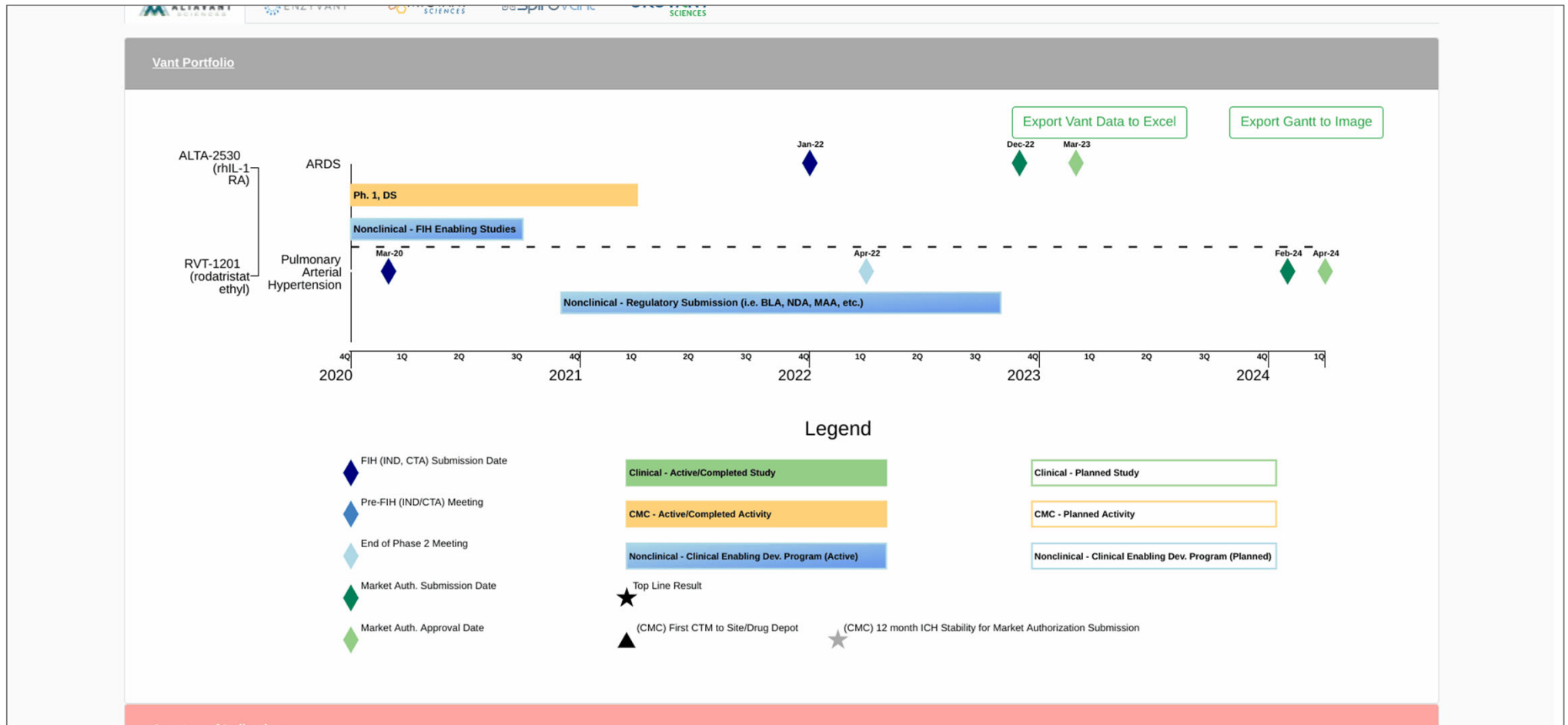


日付、タイムライン、およびその他すべてのデータは、デモンストレーション用にランダムに作成されています



# 透明性高い組織間連携の向上

## 情報共有システムを活用した見える化の推進



日付、タイムライン、およびその他すべてのデータは、デモンストレーション用にランダムに作成されています



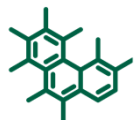
コアビジネスの強化



販売品の収益増加



より多くの医薬品をより早く市場に提供



創薬プログラムの成功確度向上



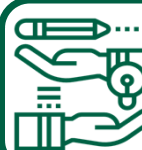
実行時の提供価値の向上



ビジネスオペレーションとプロセスの改善



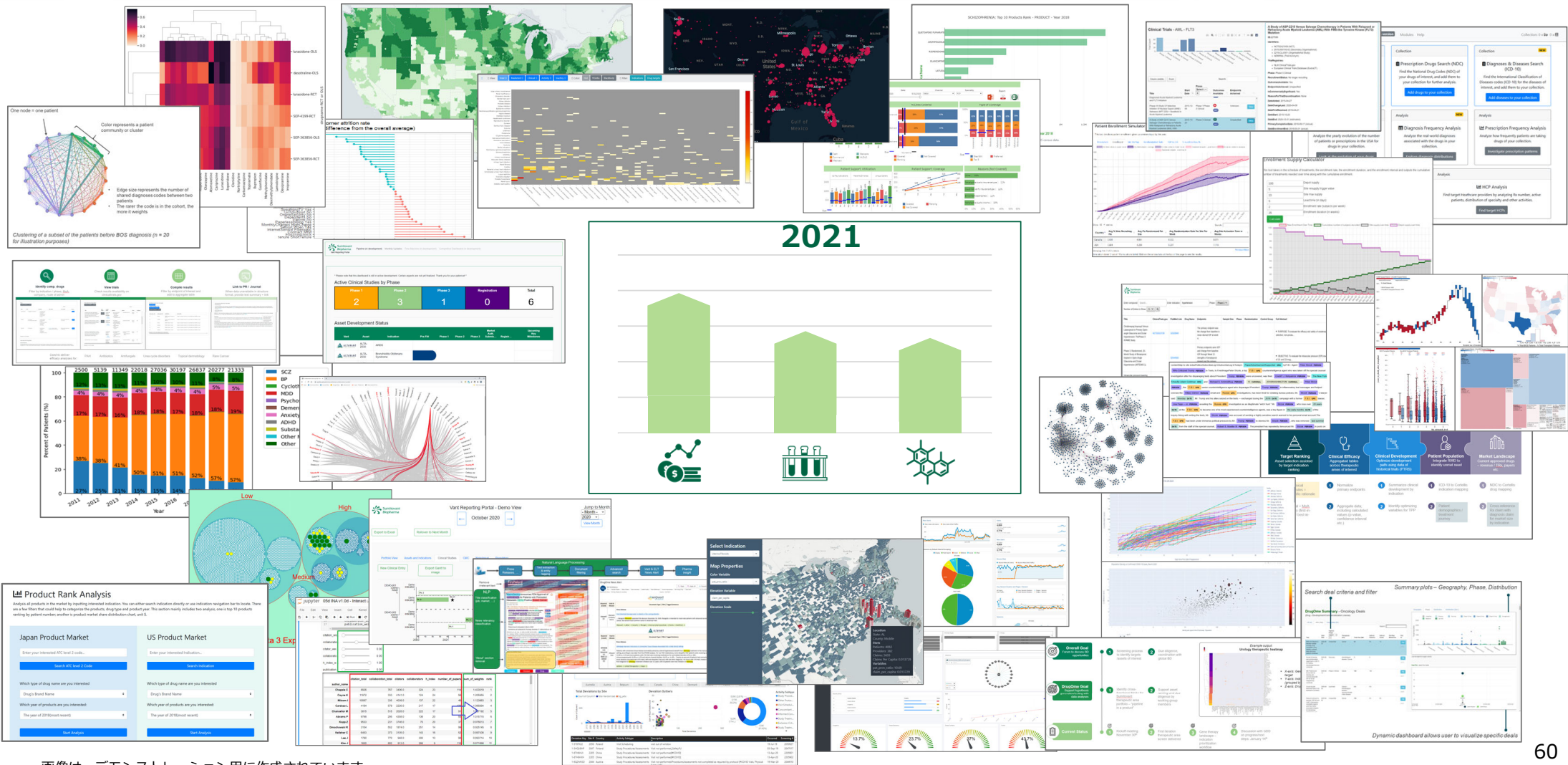
透明性高い組織間連携の向上



ビジネス部門とITチームの連携による価値の創造

# デジタルトランスフォーメーションについて

## デジタルトランスフォーメーション 始動



画像は、デモンストレーション用に作成されています

# DrugOMEについて

スミトバント社  
Chief Algorithmic Analytics Officer  
Bill McMahon

# DrugOMEは…

製薬業界の課題に対し  
迅速かつ質の高い解決策を提供する  
デジタルエコシステム

## ■ 人材

### 分析

統計、  
ML (機械学習)



### インフラ

計算能力 (クラウド)、  
データベース

### 専門知識

データの使用/リンク方法、  
注意事項、頻繁な分析



### データ

サブスクリプション  
オープンソース  
(PubMed、ChEMBLなど)

### 1. NLP (自然言語処理)

テキストからの  
知見の  
抽出



AIによる  
情報収集

### 2. ML (機械学習)

予測モデリング



プログラミング/  
データ/統計専門知識



医薬品開発  
情報

### 1. 競合環境

現在の開発パイプ  
ライン、臨床効果

### 2. ターゲット製 品プロフィール

開発計画の最適化  
(適応症の選定など)



リアルワールドデータ  
とエビデンス

### 1. 疫学/ ペイシエントジャーニー

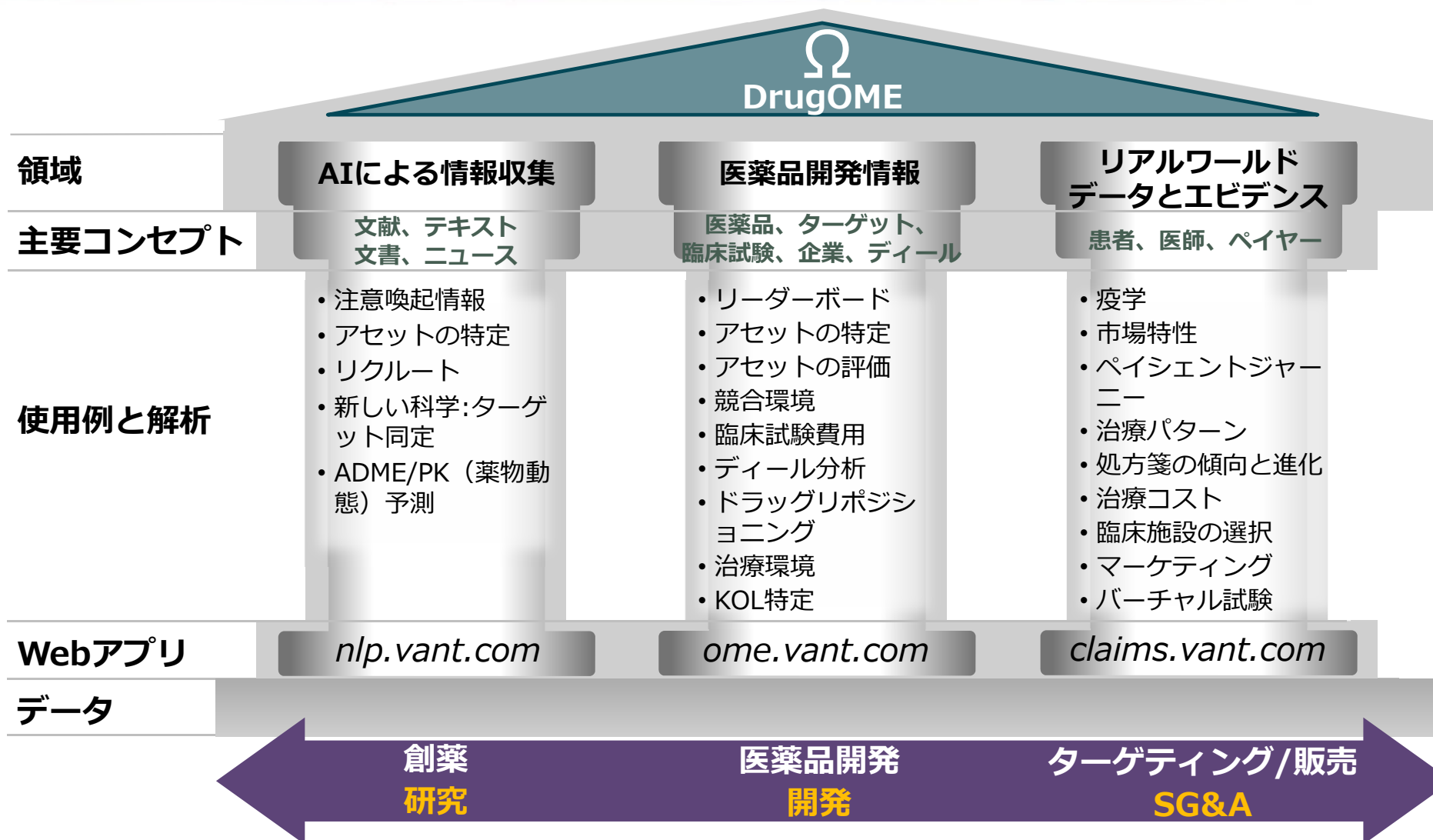
市場把握

### 2. 販売予測および分析

発売予測など



# DrugOME 機能の概要



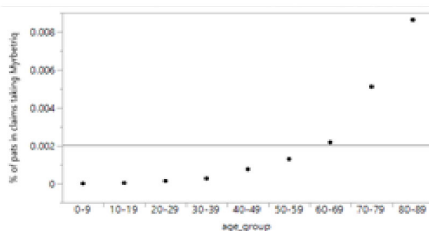
# DrugOMEについて

## 分析の事例

### ■ 競合品のクレームデータを活用し、自社の差別化に向けた潜在的な価値を探求

クレーム：ペイヤーに対する医療費の申請

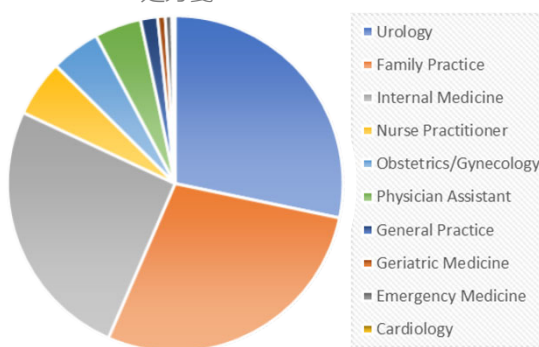
競合薬の年齢別使用状況



患者ごとの処方用量

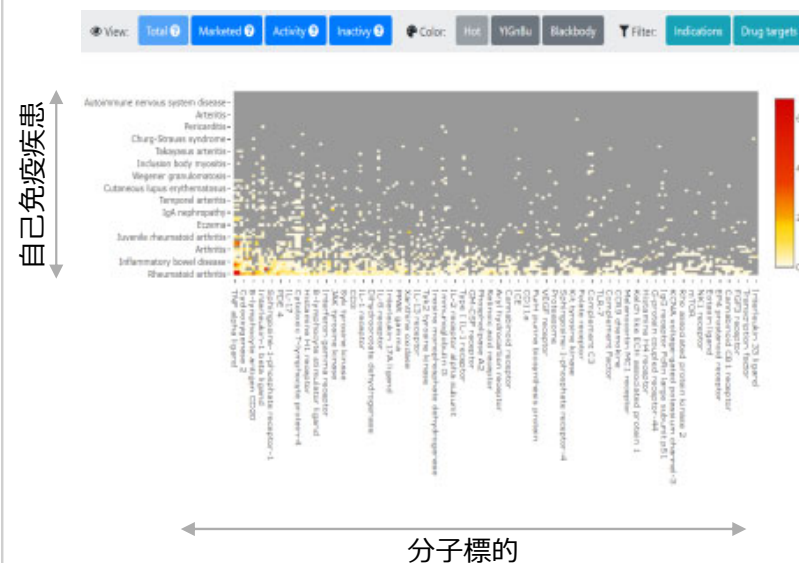
Drugs Taken	Unique Patients
Total Patients	29664
High Dose	16529
Low Dose	15106
Both Doses	1971
Only Low Dose	13135
Only High Dose	14558

処方箋



専門医ごとの処方頻度

### ■ 競合状況の可視化



### ■ 科学文献等の文書検索エンジンによる創薬ターゲット検証



プレスリリース、  
アブストラクト...

自然言語処理

テキスト抽出・  
実体とのタグ付け

創薬ターゲット関連性抽出

ターゲットに  
合致した化合物の  
リスト化

## 2020年に実施したリアルワールドデータ分析

- 開発戦略
- 販売予測
- 販売戦略
- 事業開発戦略

## HEOR（医療経済アウトカムリサーチ）パートナーシップ

- 公表論文 1件  
投稿中論文 2件、ほか複数執筆中

### 吸入グリコピロニウムと他のLAMAとの比較による、治療開始前後の悪化の発生と頻度の変化量

J. Wangら「噴霧型グリコピロニウムと他の長時間作用型ムスカリン拮抗薬で治療した慢性閉塞性肺疾患患者の増悪：米国医療行政データベース解析」がATS 2021に提出

### 感度分析：ベースラインおよび治療期における来院回数

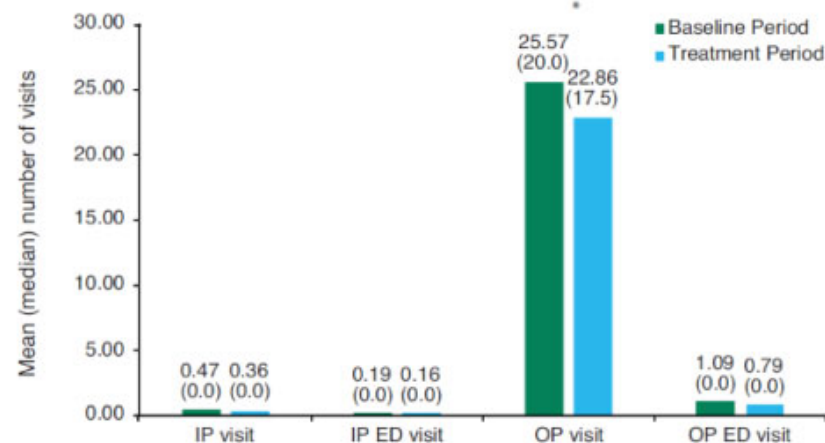
G. R. Williamsら「広く使用されている第一世代または第二世代の抗発作薬の使用歴がある後に酢酸エスリカルバゼピンを開始した焦点性発作の患者における医療資源の利用」AES 2020

Primary analysis: Nebulized GLY vs. other LAMA 1:1 PS matched								
Measure		Nebulized GLY (N=61)			Other LAMA (N=61)			DID <sup>a</sup> (95% CI)
		Pre-index	Post-index	Change <sup>b</sup>	Pre-index	Post-index	Change	
Proportion of patients (Count, %)	Moderate Exacerbation <sup>c</sup>	33 (54.1%)	24 (39.3%)	-9 (-14.8%)	27 (44.3%)	21 (34.4%)	-6 (-9.8%)	-4.9% (-28.1%, 18.2%)
	Severe Exacerbation <sup>c</sup>	10 (16.4%)	4 (6.6%)	-6 (-9.8%)	5 (8.2%)	4 (6.6%)	-1 (-1.6%)	-8.2% (-21.3%, 4.9%)
Number of exacerbation (Mean, SD)	Moderate Exacerbation	0.85 (0.96)	0.62 (0.97)	-0.23 (1.02)	0.61 (0.78)	0.57 (0.96)	-0.03 (1.06)	-0.20 (-0.57, 0.17)
	Severe Exacerbation	0.16 (0.37)	0.07 (0.25)	-0.10 (0.40)	0.10 (0.35)	0.08 (0.33)	-0.02 (0.34)	-0.08 (-0.21, 0.05)

Sub-group analysis: Nebulized GLY vs. Tiotropium Respiat <sup>®</sup> 1:1 PS matched								
Measure		Nebulized GLY (N=60)			Tiotropium Respiat <sup>®</sup> (N=60)			DID (95% CI)
		Pre-index	Post-index	Change	Pre-index	Post-index	Change	
Proportion of patients (Count, %)	Moderate Exacerbations	32 (53.3%)	23 (38.3%)	-9 (-15.0%)	24 (40.0%)	27 (36.7%)	-2 (-3.3%)	-11.7% (-33.4%, 10.1%)
	Severe Exacerbations	9 (15.0%)	4 (6.7%)	-5 (-8.3%)	9 (15.0%)	5 (8.3%)	-4 (-6.7%)	-1.7% (-15.7%, 12.4%)
Number of exacerbation (Mean, SD)	Moderate Exacerbations	0.85 (0.97)	0.62 (0.98)	-0.23 (1.03)	0.68 (0.98)	0.58 (0.91)	-0.10 (0.84)	-0.13 (-0.47, 0.2)
	Severe Exacerbations	0.15 (0.36)	0.07 (0.25)	-0.08 (0.38)	0.17 (0.42)	0.08 (0.28)	-0.08 (0.46)	0 (-0.15, 0.15)

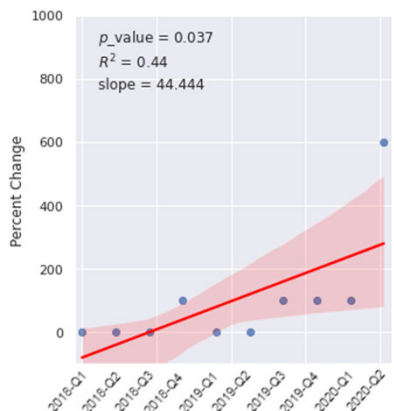
<sup>a</sup>Severe exacerbations were defined as an IP admission with a COPD dx code in the primary position.  
<sup>b</sup>Moderate exacerbations were defined as either an ER visit with a COPD dx in the primary position or an office visit with a COPD dx code in any position plus a pharmacy claim for OCS or antibiotic within 7 days of the office visit. Exacerbations occurring within 14 days of each other was considered a single exacerbation episode and classified according to the highest severity contributing event.  
<sup>c</sup>Change = Post-index measure - Pre-index measure  
<sup>d</sup>DID = Change in GLY cohort - Change in LAMA cohort  
 Abbreviations: GLY, glycopyrrolate; LAMA, long-acting muscarinic antagonist; PS, propensity score; DID, difference in difference; CI, confidence interval; SD, standard deviation.



<sup>††</sup>p < 0.05  
 ED, emergency department; IP, inpatient; OP, outpatient.

# DrugOME-SDPO社との協調：オンコロジーのターゲット探索

- DrugOMEにより、SDPO<sup>1</sup>社の研究者にオンコロジー創薬ターゲットに関連する幅広いデータを提供



- 論文に対してメタデータを付与、重要箇所にハイライト表示

Journal h-index: 199    Citation velocity: NA    Target #: 10  
 Affiliation type: University    Publication type: Journal Article    Cancer #: 7

**CircZNF609** promotes breast cancer cell growth, migration, and invasion by elevating p70S6K1 via sponging miR-145-5p.

Background: Accumulating evidence suggests that circular RNAs (circRNAs) play critical roles in carcinomas. However, the contributions of circRNAs to breast cancer remain unclear. Herein, we determined the role of circZNF609 in breast cancer. Methods: A total of 143 breast cancer and 38 normal tissues were collected to assess the expression of circZNF609 and its relationship with breast cancer prognosis. A series of in vitro and in vivo functional experiments were carried out to elucidate the role of circZNF609 in breast cancer progression and its underlying molecular mechanisms. Results: CircZNF609 was markedly over-expressed in breast cancer tissues and cell lines, and high circZNF609 expression was closely associated with poor outcome. Silencing of circZNF609 inhibited the malignant phenotype of breast cancer in vitro and in vivo. Mechanistically, circ-ZNF609 served as a sponge of miR-145-5p to elevate p70S6K1 expression. Moreover, miR-145-5p overexpression or p70S6K1 knockdown abrogated the oncogenic effects of circZNF609 in breast cancer. In addition, clinically, a strong negative correlation was observed between the expression of circZNF609 and miR-145-5p in breast cancer tissues ( $r = -0.597, P < 0.001$ ), whereas a positive correlation between circZNF609 and p70S6K1 expression ( $r = 0.319, P < 0.001$ ). Conclusion: These data suggest that circZNF609 contributes to breast cancer progression, at least partly, by modulating the miR-145-5p/p70S6K1 axis, and it may be a potential therapeutic target for breast cancer.

**Color Codes:**

- Targets
- Cancer terms
- Down regulation
- Over expression
- Therapeutic target
- Biomarker

- SDPO社の研究者と連携して開発された手法で遺伝子をランク付け
- DrugOMEにより、科学的、疫学的、競合情報データの組み込みが可能となり、総合的なターゲットランキングが実現した

遺伝子	目標スコア (0-5)
Gene1	5
Gene2	4
Gene3	3
Gene4	2
Gene5	2
Gene6	2
Gene7	2
Gene8	2
Gene9	2
Gene10	1.5
Gene11	1.5

- 総合的なプロセスにより、創薬ターゲットの選定の質と効率が向上



## トップターゲットを選定、SDPO社の臨床開発パイプラインに追加

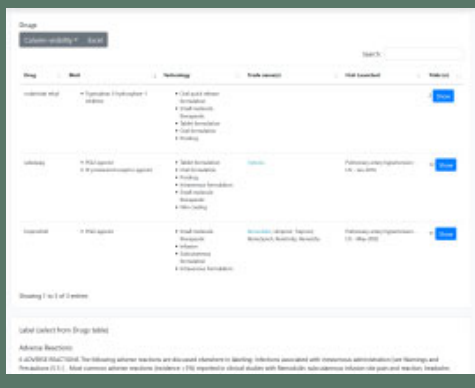
(1) SDPO：スミトモダイニッポンファーマオンコロジー社  
 このプレゼンテーションに記載されているデータはイメージです

# DrugOME ツール構築：事業開発における適応症情報の整理



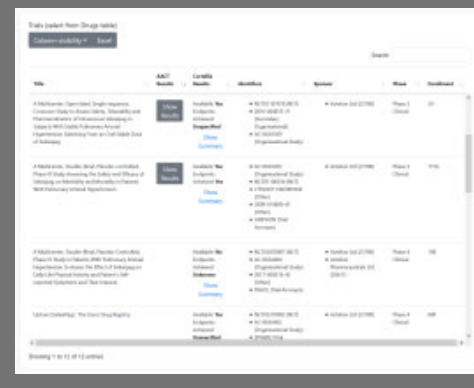
## 化合物の特定

適応症、フェーズ、作用機序、  
企業、投与経路を検索



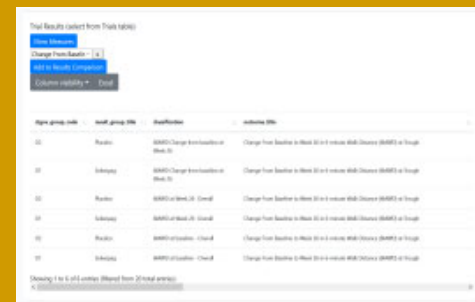
## 試験の表示

データソースから試験結果  
の有無を確認



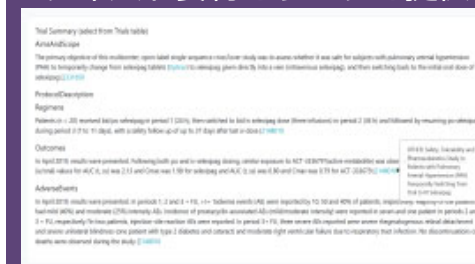
## 結果のとりまとめ

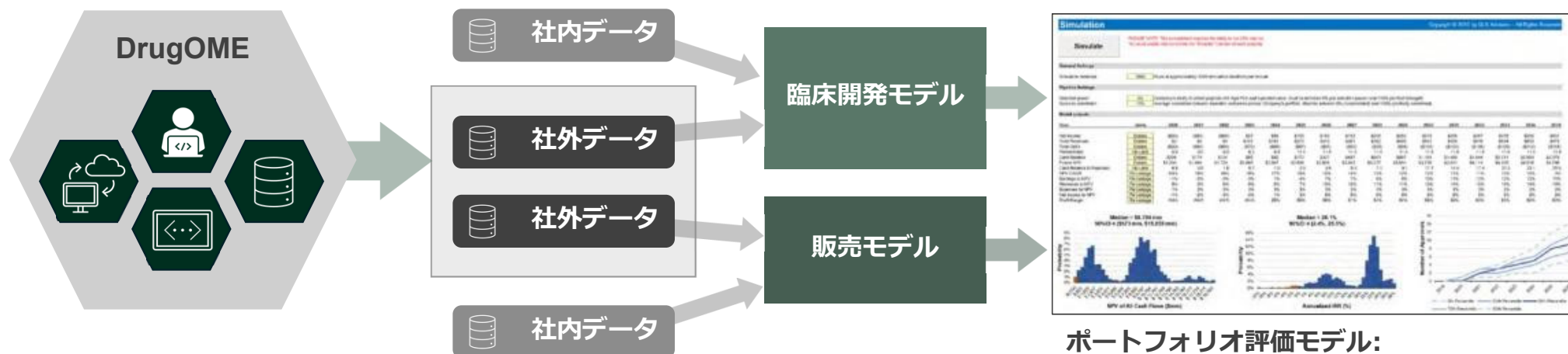
対象の評価項目で検索し、  
集計表に追加



## プレスリリース / ジャーナルへのリンク

表示可能なデータがない場合  
テキスト要約とリンクを提供





**ポートフォリオ評価モデル:**  
 ポートフォリオモデリングは、  
 戦略的な意思決定において中心的役割を果たす

- 臨床開発、事業開発、マーケティング、デジタルイノベーター<sup>1</sup>と連携し、社内のパイプラインデータと医薬品評価アルゴリズムをDrugOMEデータソースにより統合した『スミトバント医薬品ポートフォリオ評価モデル』を構築中
- デジタルトランスフォーメーションと当社グループの長期的な価値創造に向けた戦略的意思決定を連動させる

(1) デジタルイノベーター：専任の技術者  
 このプレゼンテーションに記載されているデータはイメージです

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー

取締役 常務執行役員 CSO  
木村 徹

変わりゆくヘルスケア領域での社会の課題を解決する企業として、  
2033年に「グローバル・スペシャライズド・プレーヤー」の地位確立を目指す

## グローバル・スペシャライズド・プレーヤー

### 医薬品+ソリューション

医薬・細胞  
ソリューション



ヘルスケアソリューション  
(フロンティア事業)

### 3領域でグローバルリーダー

精神神経領域

がん領域

再生・細胞医薬分野

価値にフォーカスしたベストインクラス

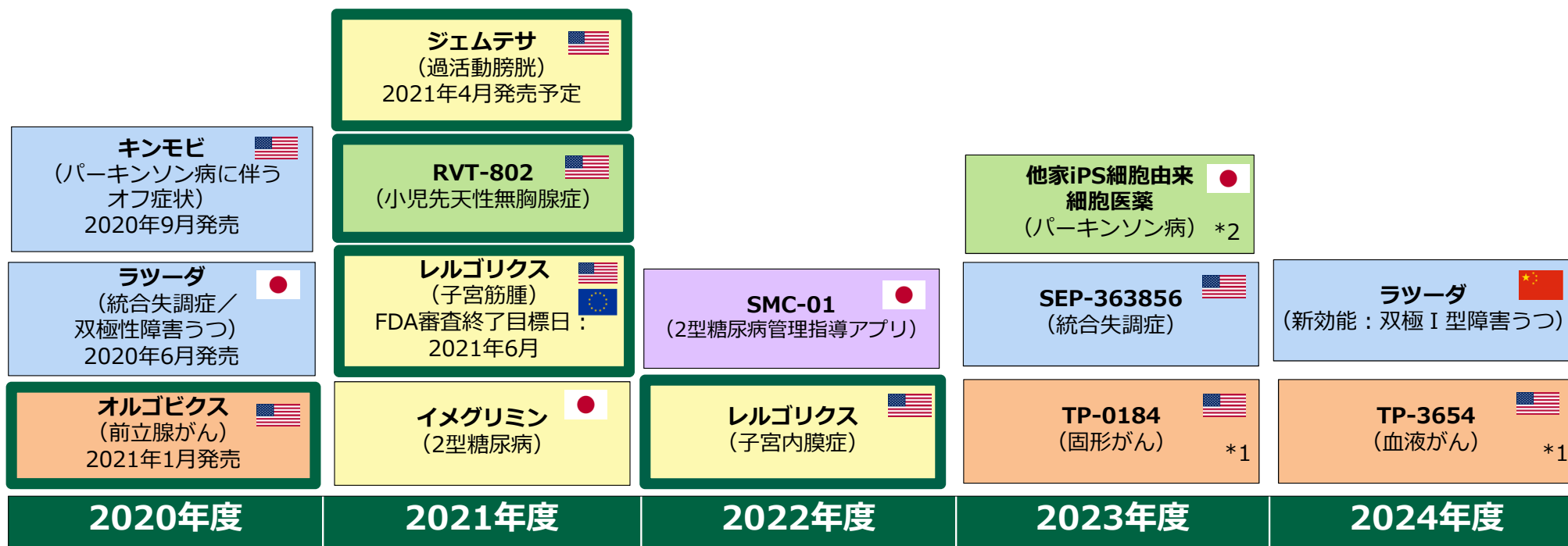


## スミトバント社への期待とR&D面のシナジー 2020年度振り返り

- **スミトバント社**      レルゴリクス、ビベグロンの開発成功  
RVT-802 等の新規領域プログラムの進捗
- **精神神経領域**      SEP-363856、SEP-4199の後期臨床開発が進捗中  
2020年4月以降、7つの開発候補化合物を新規に創出  
(前臨床入り準備中、ブロックバスターを目指せるものが複数あり)
- **がん領域**      ナパブカシン CanStem303C試験    主要評価項目を達成せず
- **再生・細胞医薬分野**      パーキンソン病の医師主導治験や網膜色素変性の臨床研究で当社製造細胞が移植  
された。RVT-802 (小児先天性無胸腺症) は、FDAへの再申請間近
- **フロンティア事業**      SMC-01 (2型糖尿病管理指導アプリ) の共同開発開始  
当社医薬品事業にシナジーが期待できる種々の案件を探索中

各パイプラインを更に進捗させるべく、スミトバントモデルの積極活用を検討中

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー 製品上市目標（2021年3月23日現在）

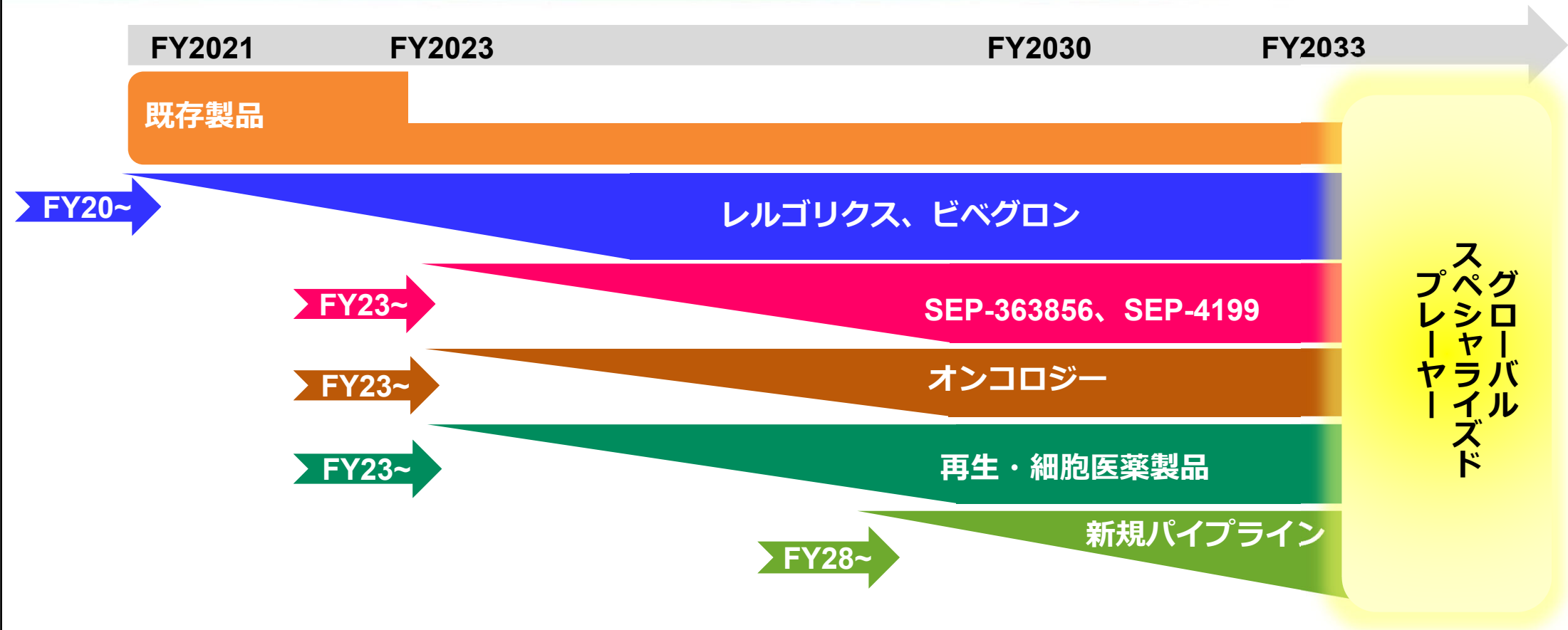


- : 精神神経領域
- : がん領域
- : 再生・細胞医薬分野
- : その他の領域
- : スミトバント製品
- : フロンティア事業

\*1 迅速承認制度活用を前提  
(今後、FDAと協議予定)

\*2 連携先との合意ではない当社の目標

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー R&D戦略上のシナジー



スミトバント社の製品は、今後10年間の収益と将来へのR&D費用を支える  
 → その間に、ラツード後を担う製品の開発を進め販売を開始する  
 → 2033年以降「グローバル・スペシャライズド・プレーヤー」として医療に貢献

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー 研究開発拠点

## スミトバント社R&D

- 疾患領域やロケーションに捉われないプロジェクト毎の柔軟な体制
- アセット探索、治験推進への積極的なデジタル技術の活用

Myovant Sciences (米国)  
(婦人科、前立腺がん)

Urovant Sciences (米国)  
(泌尿器科疾患)

Enzyvant Therapeutics (米国)  
(小児希少疾患)

Spirovant Sciences (米国)  
(嚢胞性線維症 [遺伝子治療])

Altavant Sciences (米国)  
(呼吸器系希少疾患)

大日本住友製薬株式会社 (日本)  
精神神経領域、がん領域、再生・  
細胞医薬分野、感染症領域等

住友製薬 (蘇州) 有限公司 (中国)  
中国での臨床開発

Sunovion Pharmaceuticals Inc. (米国)  
精神神経、呼吸器領域

Sumitomo Dainippon Pharma Oncology,  
Inc. (米国) がん領域

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー 新たな開発体制モデル（エンジバント社の例）

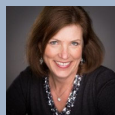


Basel

**Alexander Solyom**  
Senior Medical Director,  
Clinical Development



California



**Sarah Kulke**  
Vice President Medical Affairs

**Jim Luterman**  
SVP, Head of Early-Stage  
Development and Partnering



**Rachelle Jacques**  
CEO

Massachusetts

**Andrea Ashford-Hicks**  
Senior Biopharmaceutical  
Executive



**Jeb Ledell**  
Chief  
Operating  
Officer

North  
Carolina



**Kevin Healy**  
Vice President Regulatory  
Affairs and Quality

当社グループ：  
領域毎でグローバル展開  
する研究開発体制

スミトバント社： バント毎に機動的体制を構築  
ロケーションに捉われない事業体制  
リモートワークの先駆者

# スミトバント社への期待とR&D面のシナジー

## スミトバント社の開発パイプライン概要

特徴あるモダリティ（2/3が低分子以外のモダリティ）、かつ様々な適応症で構成される  
開発パイプラインを擁し、患者さんの広いアンメットニーズに応えていく

	化合物	モダリティ	適応症	治療分野	開発フェーズ
	レルゴリクス	低分子	進行性前立腺癌	がん	米国 FDA承認済
		低分子 (配合剤)	子宮筋腫	婦人科	米国 NDA受理 欧州 MAA申請済
			子宮内膜症	婦人科	フェーズ 3
	MVT-602	オリゴペプチド	女性の不妊症	婦人科	フェーズ 2
	ビベグロン	低分子	過活動膀胱 (OAB)	泌尿器科	米国 FDA承認済
			前立腺肥大を伴うOAB	泌尿器科	フェーズ 3
	URO-902	遺伝子治療	過活動膀胱	泌尿器科	フェーズ 2a
	RVT-802*	細胞医療	小児先天性無胸腺症	希少疾患	BLA再申請
	rodatristat ethyl	低分子	肺動脈性肺高血圧 (PAH)	呼吸器	フェーズ 2b
	ALTA-2530	組換えタンパク質	閉塞性細気管支炎症候群 (BOS) 化学物質による肺障害	呼吸器 呼吸器	前臨床 前臨床
	SP-101*	遺伝子治療(AAV)	嚢胞性線維症	呼吸器	前臨床
	SP-102*	遺伝子治療(LVV)	嚢胞性線維症	呼吸器	前臨床

\* : RVT-802、SP-101、SP-102は、参考資料のスライドもご参照ください

## スミトバント社への期待とR&D面のシナジー 研究開発でのデジタルシナジー



- RWDの積極的活用
- デジタル技術を活用した創薬ターゲット探索、アセット探索力、開発スピード向上に強み（→ DrugOME）
- 現場に密着したデジタルプラットフォーム開発力（→ Digital Innovation）

双方の特徴を活かして  
**R&Dのスピードアップと  
成功確度の向上**



- 多くの製品を創出した経験と豊富な自社データ
- 精神神経領域を中心に、創薬初期段階でのデジタル技術活用に強み
- デジタル技術を活用した治験確度向上に積極的

## スミトバント社への期待とR&D面のシナジー DXを活用した創薬



- アセット毎・疾患毎の柔軟で効率的な開発体制
- デジタル技術を活用したスピーディーかつフレキシブルな開発
- デジタル技術を活用した有望アセット探索

双方の強みを融合し、シナジーを  
発揮することによって、R&Dの  
トランスフォーメーションを起こす

グローバル・  
スペシャライズド・  
プレーヤー



- 領域毎の高い専門性と製品創出の継続実績
- 探索研究から承認取得まで対応できる一貫体制
- 内資系準大手として早期からのグローバル展開実績



## 参考資料

## 小児先天性無胸腺症について

先天性無胸腺症は極めてまれな免疫疾患で、現在承認されている治療選択肢のない、アンメットニーズが高い疾患である

- 先天性無胸腺症の小児患者は、胸腺を欠損し生まれてくるため、感染症への抵抗力が弱く、重度の免疫不全状態である
- 患者体内で感染症と戦うのに十分な働きをするT細胞がないため、致命的な感染症に繰り返し罹患することがある
- 疫学データから、患者の多くは2歳まで生存できず、主要な死亡原因は感染症である



患者生存率(n=49、支持療法<sup>1</sup>あり)



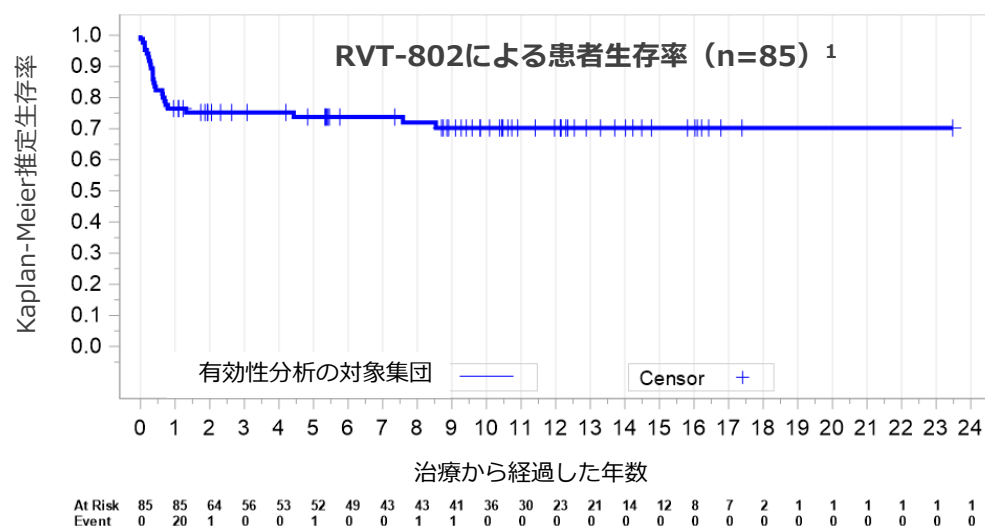
(1) 支持療法の選択肢には、免疫グロブリン療法および隔離がある

# RVT-802: 小児先天性無胸腺症を対象に開発中の再生医療

開発段階:BLA（生物学的製剤承認申請書）への審査結果通知を受領（2021年BLA再提出予定）

モダリティ:組織を利用した再生医療

- 先天性無胸腺症の小児患者に、機能的免疫応答を生み出すように加工された培養胸腺組織を移植する1回完結型の治療法
- FDAより、ブレイクスルーセラピー指定、再生医療先端治療指定、希少小児疾患治療薬指定、希少疾患治療薬指定を受け、EMAより、先端医療医薬品指定、希少疾患治療薬指定を受けている



- RVT-802の治療を受けた85人の先天性無胸腺症患者の、1年目および2年目のKaplan-Meier推定生存率は、それぞれ76%および75%であった<sup>1</sup>
- RVT-802による治療後、胸腺機能が確立するまでに通常6～12カ月を要する<sup>1</sup>
- 投与後1年間生存した患者の7.3年生存率は、95%であった<sup>1</sup>

## SP-101: 嚢胞性線維症を対象とした次世代型遺伝子治療

嚢胞性線維症の治療に用いられる既存の製品は、特定の遺伝子欠損（機能的欠損）に起因するCFTRタンパクの機能低下を改善し、遺伝子変異を有するクラスII～IVの患者にのみ有用である。多くの場合、これらの治療法は治癒ではなく、対症療法である

### 開発フェーズ:前臨床

### モダリティ:遺伝子治療（吸入型）

- 気道上皮細胞に高い指向性（結合）を示す遺伝子組み換えアデノ随伴ウイルス（AAV）カプシド（AAV2.5T）
- 独自の合成プロモーター/エンハンサー（SP183）は、嚢胞性線維症の原因遺伝子であるCFTR蛋白の発現を最大化させる
- 低分子との併用により、ベクターのエンドソームから核への移行を向上させる
- これらの要素の組み合わせにより、AAV2に比べ、遺伝子発現効率を1,000～10,000倍増加させる

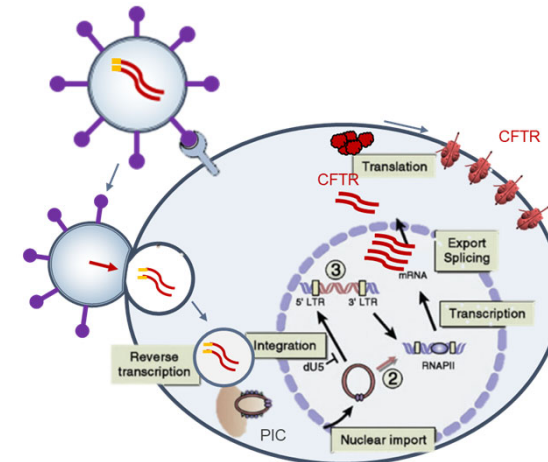
## SP-102:

# 嚢胞性線維症を対象とした次世代型LV技術を用いた1回完結型治療

開発フェーズ:前臨床

モダリティ:遺伝子治療（1回投与）

- 変異または欠損したCFTR蛋白をCFTR遺伝子全長を導入して機能的なCFTRタンパクに置き換え得るために、気道上皮細胞に高い指向性（結合）を与えるGP64糖蛋白質を有する遺伝子組換えレンチウイルスベクター（LV）を利用する
- LVで導入したCFTR遺伝子は染色体に組み込まれるため、1回の投与により生涯にわたり潜在的な治癒量レベルの遺伝子が発現する可能性を有する
- 前臨床データでは、ヒト気道上皮細胞への効率的な遺伝子発現を示した



## 再生・細胞医薬分野 事業化計画（2021年3月23日現在）

予定適応症等	連携先	予定地域	細胞種	実施状況
小児先天性無胸腺症 (RVT-802)	デューク大学	Global	培養胸腺組織	再申請に向けて準備中
加齢黄斑変性	ヘリオス 理化学研究所	Global	他家 iPS細胞由来 網膜色素上皮	臨床研究実施中 企業治験開始に向けて準備中 (日本)
パーキンソン病 (先駆け審査指定制度対象)	京都大学iPS 細胞研究所 (CiRA)	Global	他家 iPS細胞由来 ドパミン神経 前駆細胞	医師主導治験実施中 (フェーズ1/2試験) (日本)
網膜色素変性	理化学研究所	Global	他家 iPS細胞由来 網膜シート (立体組織)	臨床研究実施中
脊髄損傷	慶應義塾大学 大阪医療センター	Global	他家 iPS細胞由来 神経前駆細胞	臨床研究実施中
腎不全	東京慈恵会医科大学 バイオス ポル・メド・テック	日本 北米	自家/他家 iPS細胞由来 ネフロン前駆細胞 (立体臓器)	非臨床試験実施中

2021年度  
治験開始目標

2023年度  
上市目標\*

\* 上市目標は連携先との合意ではない当社の目標。2021年1月以降の変更部分は赤字で示しています。



Innovation today, healthier tomorrows