



## Become A Social Innovator

製品創製説明会  
参天製薬株式会社  
2021年10月7日



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

**谷内**：皆様、おはようございます。参天製薬 CEO の谷内でございます。本日は、ご多用の中ご参加いただきまして、誠にありがとうございます。また、平素より私ども Santen にご関心をお持ちいただきまして、改めて御礼申し上げます。

本日は、R&D Day、製品創製説明会です。具体的な製品創製の話に入る前に、少し私から Santen 2030 から見た全体像や全体戦略についてお話をさせていただきます。その後、それぞれの担当リーダーから説明をさせていただきたく流れていきたいと存じます。

## 基本理念とWORLD VISION

### 基本理念

# 天機に参与する

自然の神秘を解明して人々の健康の増進に貢献するという  
ことを意味しています。\*

### WORLD VISION

## Happiness with Vision

世界中の一人ひとりが、Best Vision Experience を通じて  
それぞれの最も幸福な人生を実現する世界を創り出したい。

\* 中国の古典「中庸」の一節をSantenが独自に解釈したもので、社名「参天」の由来でもあります。

まず、5 ページ目でございます。

通例ではございますけれども、こちらは社名の由来となっております基本理念「天機に参与する」をお示しております。

Santen が目指す理想の世界である WORLD VISION「Happiness with Vision」を実現するために、そして社会への貢献を通じて成長していくために、私どもは日々事業に取り組んでおります。

もちろん製品創製活動は、その中でも最も大事な取り組みの一つです。

MTP2025～Santen 2030

## 基盤事業の価値最大化とそれをテコにした新規事業・新規領域への参入



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

6 

6 ページ目をご覧ください。

MTP 2025 の期間では、これまでに培ってきた強みを軸に、地域、そして事業領域の両面で深化、拡大させていくことによりまして、真のグローバル眼科医薬品企業へと変革してまいります。

そして、Santen 2030 を達成し、Social Innovator として、目の疾患や不具合に起因する世界中の人々の社会的、経済的な機会損失を削減することを目指してまいります。

では、それをどのように具体的に行っていくのか、ここからお話しさせていただきます。

Santen は常に眼科医療、そして患者さんの体験価値、エクスペリエンスを革新することで成長を目指しております。そのために、眼科医療の課題と向き合い、そして患者さんの声を聞き、課題解決策をこれまで提供してまいりました。

本日のテーマは製品創製でございますが、まずはそれを取り巻く眼科医療全体をどのように革新しようとしているのか、そこからお話しさせていただきます。

Santen 2030 “Social Innovator” に向けた道筋

## Happiness with Visionを実現するため、幅広い眼科ソリューションを展開中



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

\*TTT= TwentyTwentyTherapeutics, SantenとVerilyで設立した革新的デジタルデバイスを開発するJV

7 Santen

7ページ目にお話ししてございますとおり、眼科医療につきましては、治療に至るまでも様々な課題が存在しております。

左から通院実行、そして検査・診断、こういった過程におきましても、様々な課題がございます。そして、治療に関してもアンメットメディカルニーズがたくさんございます。これら一つ一つをアンロックしていくことで、Santenはこれまでも、これからも、Social Innovatorとして変革しながら成長を実現していきます。そのために、プロセスイノベーションとメディカルイノベーションとに分けて取り組んでおります。

ここで、最近の進展につきましてご紹介いたします。

まず、プロセスイノベーションの中の通院に関しましては、例えば最近ご案内のとおり、国連、WHOから目の健康に関する決議が初めて出たことが大きな進展となっております。また、これを受けまして、各世界中の地域の政府や企業と連携をした疾患啓発活動にも着手しております。

例えば、中国では、最大の眼鏡チェーン、宝島眼鏡と組んだスクリーニングの取り組み、あるいは東南アジアでも既に普及しております近視のお子様向けのアプリ、Planoとの提携などもこちらの中に当てはまります。

次に、検査・診断についてです。こちらは、例えば、先週リリースさせていただきましたが、シンガポールのナショナル・アイセンターと新たな連携を始めまして、東南アジアを中心に眼科検査のスタッフを増やしていく新たな取り組みに着手いたします。

ご案内のとおり、眼科での検査、そして診断のためには、視力検査、視野検査等、様々な検査を行うスタッフさんが大変重要です。しかしながら、実際は中国、アジア、それぞれ質・量ともに不足しているのが現状です。このプログラムでは、この眼科検査スタッフを新たな資格、職業として確立していくことで、医療のキャパシティと治療のスループットを改善してまいります。また、同様の取り組みは、中国においても検討を開始しております。

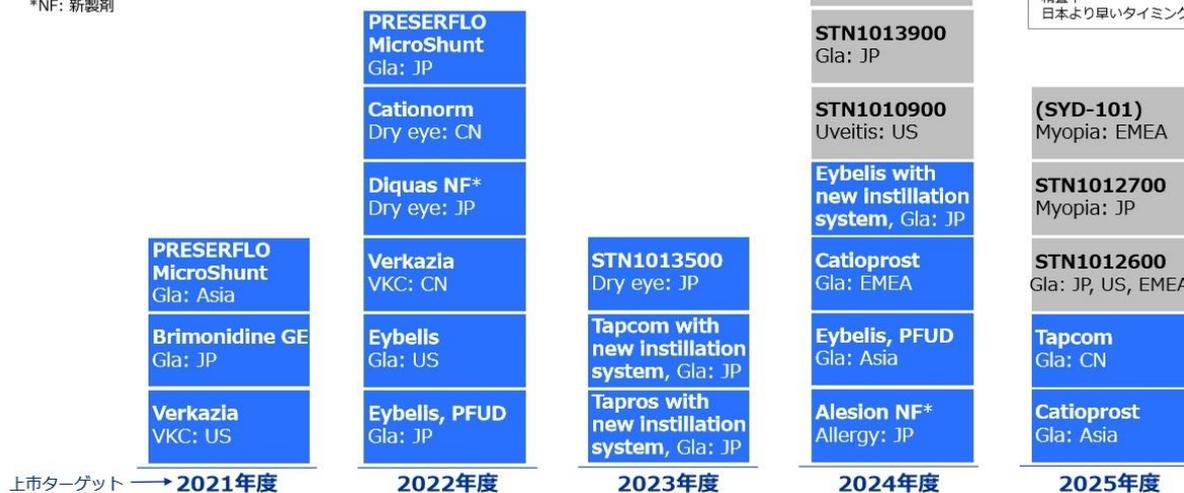
加えて、DXの観点では、例えば中国での Airdoc の AI 診断機器、あるいはアメリカで活動を行っております Verily とつくりましたジョイントベンチャー、TWENTY/TWENTY Therapeutics、こちらから生み出されますデジタル製品も、これらプロセスイノベーションにつながっていくものがございます。

そして、本日のテーマが、最後の治療におけるメディカルイノベーションです。どのように Santen が眼科医療の将来トレンドやアンメットニーズに向き合い、どういった新しいソリューションを生み出そうとしているのか。プロセスイノベーションで増大した市場からのデマンドをどのように取り込もうとしているのか。本日はこの辺りを中心に、この後お話しさせていただきます。

## MTP2025における製品創製：ライフサイクルマネジメントを中心とした基盤事業領域に最注力 中長期の成長を支える豊富なパイプライン

■ リアルマーケットニーズによる製品価値最大化  
■ 新グローバルブランド品上市ポテンシャル

\*NF: 新製剤



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

ここに明記してあるパイプラインは各パートナー企業と開示が合意されたもののみであり、2025年までに予定されているすべてのパイプラインが明示されているわけではありません。スケジュールは、2021年9月30日時点で想定しているベストケースです。

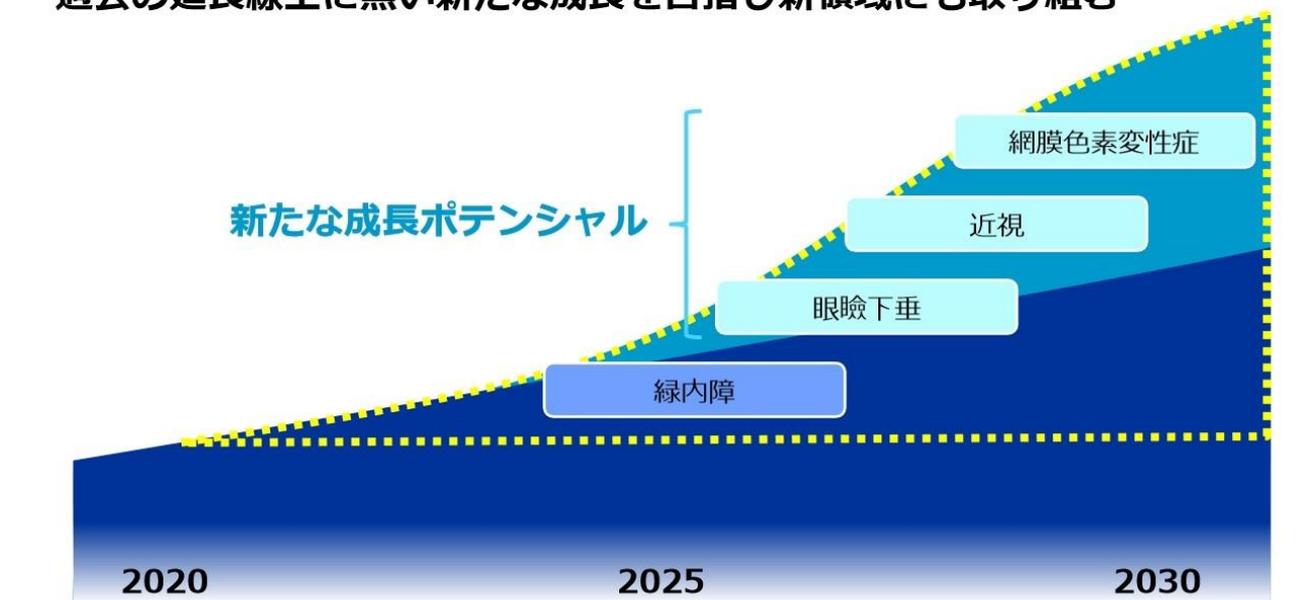
8

Santen

次の 8 ページ目をご覧ください。こちらは、中長期の成長をドライブするパイプラインの概況です。

この中計期間を製品創製の面から見ますと、この MTP 2025 に向けまして、これまで培ってきた基盤事業をさらに強化すると同時に、新しい領域、成長領域にしっかりと種をまき、将来へのさらなる成長基盤をつくる期間となっていきます。

## 過去の延長線上に無い新たな成長を目指し新領域にも取り組む



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

9 Santen

9 ページをお願いします。こちらが、いつもお話ししております成長ドライバーと時間軸です。

今、述べましたとおり、この基盤事業で収益をしっかりと確保しながら、次の5年間、さらにはその先に向けた成長ドライバーも育ててまいります。

ここに記載しております三つの疾患を中心に、新しい疾患領域にもチャレンジし、過去の延長線上にない成長を目指してまいります。

### R&D生産性の公式

## 生産性を軸にした戦略的製品創製を実行

$$\text{R\&D生産性} \propto \frac{\text{WIP} \times \text{PTS} \times \text{V}}{\text{CT} \times \text{C}}$$

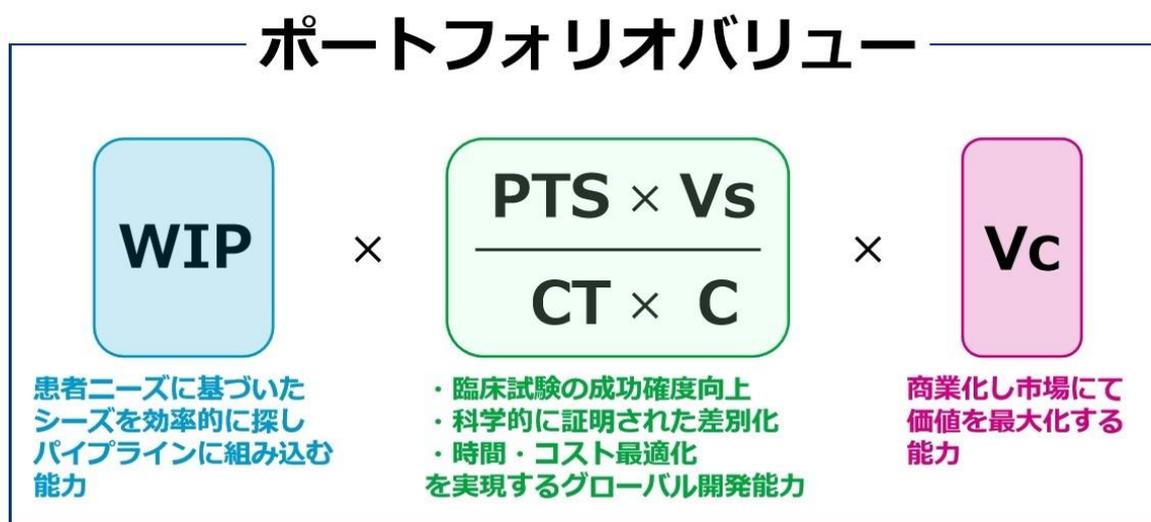
WIP (work in process) 、 PTS (probability of technical success) 、  
V (value) 、 CT (cycle time) 、 C (cost)

では、次に生産性、あるいは戦略的な製品創製の関係性について、私どもがどのように課題を分析し、アプローチしようとしているか、お話しさせていただきます。10 ページ目です。

将来成長に向けた積極的な研究開発は、医薬品企業にとって最も重要な投資領域です。この研究開発活動、R&D の生産性については、こういった式が一般的に知られておりますが、こちらに基づきまして、私どものほうでポートフォリオの価値向上、そして研究開発の生産性向上に向けた取り組みを行っております。

効率的な製品創製

### 3つの能力を磨きポートフォリオバリューを向上



11 ページ目をご覧ください。

まず一つ目、一番左側です。患者さんのニーズに基づいたシーズを効率的に探し、パイプラインに組み込んでいく力です。臨床医師、アカデミア、そして患者さんや、そのご家族からの情報から導かれた解決策、あるいは、そのアイデアを R&D、事業開発と連携をし、世界中のネットワークを通じて見つけ出し、パイプラインに組み込み、持続的にワーク・イン・プロセスの数を増大してまいります。本日、この領域につきましては、レザ・ハックより、この後ご説明いたします。

二つ目は真ん中です。臨床試験の成功確度向上、付加価値の実現、そして開発の時間とコスト、こちらの最適化を実現していくグローバルの開発能力です。長年、眼科専門企業として蓄積してきた眼疾患における開発経験、医師、学会、当局とのパートナーシップを活かしまして、臨床試験の効率、着実な進展を追求するとともに、開発品の持つ潜在的な貢献価値を科学面から最大限引き出します。このパートにつきましては、ピーター・サルスティグより、この後お話しいたします。

そして、一番右側の三つ目、承認、上市後の製品を商業化し、市場で価値を最大化する能力です。世界 60 カ国以上というグローバルで展開する眼科専門企業だからこそ展開できるマーケティング活動、製品特性ごとの製品戦略によりまして、例えば各ドライアイ市場をつくり、新しい価値提案を行ってきたように、今後も新しい市場創製も含めました製品価値の最大化を図ってまいります。この観点では、ポートフォリオ戦略を担当する坂井より、この後お話しいたします。

こういった眼科領域におきまして、これら全ての能力を高いレベルで備えている企業は、私ども Santen 以外にないと自負しております。現状、皆様方にいろいろとご心配をおかけしております状況であること、あるいは市場から厳しい評価をいただいていることは、もちろん十分認識しております。そういった声をしっかりと受け止めながら、一つ一つ結果を出していく、努力していくべく、全世界の 4,000 人の社員が一丸となって日々取り組んでおります。

本日は、どのように製品創製を成功させていくのか、そして、どのように成長を実現していくのか、なるべく具体例を用いてご説明したいと思います。少し長丁場とはなりますが、どうぞよろしく申し上げます。

それでは、まずレザ・ハックから次のチャプターのお話をさせていただきます。



レザ・ハック  
MD, Ph.D.  
眼科イノベーションセンター  
本部長

1. Santenの製品創製に対する考え方
  2. 患者ニーズに基づいたパイプライン拡充
  3. 製品開発の着実な推進による付加価値の追求
  4. 事業化・商業化を通じた  
ポートフォリオバリューの向上
  5. 総括
- Appendix

**ハック**：皆さん、こんにちは。おはようございます。レザ・ハックと申します。眼科イノベーションセンター（OIC：Ophthalmic Innovation Center）の本部長をしております。

今回はこのような機会を得まして、うれしく存じております。患者さん、そして社会のために我々は一体何ができるでしょうかという話をさせていただきます。我々のパイプラインが、今どのように拡充しようとしているのでしょうか。

眼科イノベーションセンターのミッション

## 潜在ニーズに応えるため、 業界・業種を超えて技術や製品候補を探索・導入



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

13 Santen

最初に眼科イノベーションセンターのミッションについてお話します。人々が我々の活動の常に中心であると理解しております。そして、ニーズを捉え、業界を越えて新しい技術や製品候補を提供していきたいと思います。眼科イノベーションセンターが取り組む三つの観点があります。

眼科イノベーションセンターの観点の1点目は人々であります。私たちは、眼科疾患についてよく知っております。技術の理解を深め、患者さんの満足度向上に努めてまいります。

疾患戦略が2番目であります。私たちは、アンメットメディカルニーズについて患者さんや医療従事者から学び、深く理解した上で疾患戦略を確立しました。

3番目はネットワークでございます。製品候補や眼科技術を評価・導入するため、外部ネットワークを駆使していきます。

それでは、この三つの観点について現状をお話させていただきます。

## 1) People

### 世界中で約1年間に1,000名以上の患者さんの声を収集



**Santen** **全社**をあげた  
“人中心”の活動

**2,000**以上  
の気づき

**Patient Journey** **Innovation**

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

14 **Santen**

スライド 14 ページ目をどうぞ。

我々は、患者さんの声を収集しております。患者さんが何を欲し、何を必要としているのかという声に耳を傾けているわけであります。

全社的な人中心の活動としまして、世界中の 350 人以上の従業員を動員し、患者にプラスの影響を与えることに専念する 100 以上の「InService of Patients (ISOP)」チームメンバーのコミュニティを作成しました。

この ISOP は、人を中心とした全社的な活動であります。1,800 以上のアンケートの回収、100 人以上の患者さんのインタビューは、患者さんから 2,000 以上の気づきをもたらしました。患者さんのアンメットニーズ、そしてクオリティ・オブ・ライフを理解しようとしております。

## 2) 疾患戦略

### 疾患ニーズと技術の成熟度から、 取り組むべき疾患を特定し疾患戦略を構築



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

15 Santen

それでは、スライド 15 に進んでください。

疾患戦略の話に移ります。疾患のニーズと技術の成熟度から取り組むべき疾患を特定し疾患戦略を立てていきます。

このスライドは、治療オプションのレベルと患者の満足度を疾患別に示しています。例えば緑内障やアレルギー疾患、ドライアイは我々の基盤事業であります。これらの疾患の治療については、製品を出しております。我々はこれらの治療領域において、製品価値の最大化と差別化を図っています。

一方、左側が、新規領域になります。Santen2030 が達成において重要な疾患グループであります。近視、網膜色素変性症、老視、眼瞼下垂が新規領域になります。

## 2) 疾患戦略

### 各疾患で目指すゴールイメージを持って開発

		Santenの目指すゴール
新規領域	近視	子供を将来の失明リスクから守る
	老視	働き盛りの中高年を見えづらい煩わしさから解放する
	網膜色素変性症	遺伝だからと諦めず、見える人生を提供
	眼瞼下垂	手術には至らない軽症患者さんも含め視界を広げ人生も広げる

		Santenの目指すゴール	販売 製品数	パイプ ライン数*
基盤事業	緑内障	点眼の負担を最小限にして生涯にわたり視野を守る	13	8
	ドライアイ	目の乾きによる不快感をなくし、「見る」をサポート	3	3
	アレルギー	目のかゆみや痛みで悩まされない日常にいざなう	4	1

それでは、スライド 16 ページをどうぞ。

このそれぞれの疾患に対して、疾患のゴールのイメージを描いております。基盤事業と新規領域の両方についてであります。

まず、新規領域において近視のゴールは子供を将来の失明のリスクから守ることです。近視であれば眼鏡をかけるようになります。近視の両親は子供の近視をさほど気にしない傾向があります。しかし、近視が急速に進行すると失明のリスクさえあるわけでありです。詳細については、のちほどご説明いたします。

一方、老視でありますけれども、こちらは中高年の方を悩ませている、いわゆる高齢化の現象であります。ゴールは何でしょうか。ゴールは、働きざかりの中高年を、見えづらい煩わしさから解放することにあります。

そして、網膜色素変性症、これは遺伝疾患でありまして、失明のリスクが非常に高い疾患であります。しかし、我々のゴールは、遺伝だからといって疾患治療の希望を諦めないことでもあります。

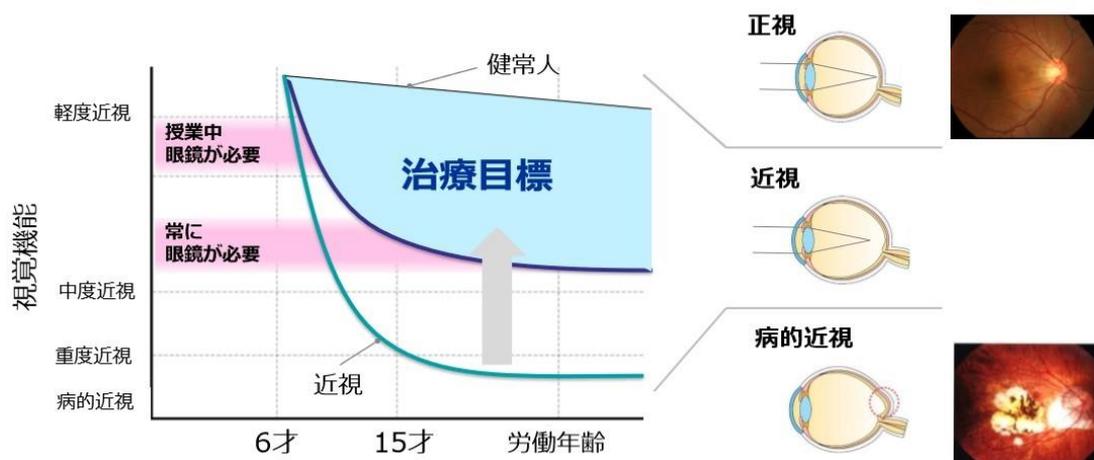
最後に、眼瞼下垂であります。ゴールは患者さんの見える経験を広げることによって、人生を全うすることをお手伝いすることにしております。

さらに加えて、緑内障、ドライアイ、アレルギー疾患もピックアップしております。これらは既に市場に製品がございいますが、さらなる改善が必要だと思っております。それぞれのゴールをもとに見直そうと思っております。

## 2) 疾患戦略：新規領域（近視）

### 学童期の予防、進行抑制が重要

2020年には**3人に1人**、2050年には**2人に1人**が**近視**<sup>\*1</sup>



それでは、この近視についてももう少し深掘りしたいと思います。今現在、世界におきまして 2020 年には 3 人に 1 人が近視であります。

しかし、この率は、2050 年には 2 人に 1 人と増える予定であります。2010 年には 10 億人（Santen 追記：19 億人）の人たちが、コンタクトレンズや眼鏡をかけた近視の患者さんであります。2050 年にその数が 2 倍になる予想されています。世界の人口の半分以上が近視になると予想されます。

また、学童期のアジアの子供たちの 80% が近視になり得るわけであります。軽度・中度近視であっても、成人期に病的近視や失明につながる潜在的なリスクがあります。軽度・中度近視の段階から重度近視に進行しないようにする必要があります。

2) 疾患戦略：新規領域（近視）

「治療」前後のフローや低濃度アトロピン後も見据え開発

「子供を将来の失明リスクから守る」  
ためのアプローチ

KOLと連携した**啓発活動**

アカデミアとの共同研究により  
**病態理解と創薬**を加速

**低濃度アトロピン**の可能性を  
最大限引き出し、**製品化**

**次世代品**による低濃度アトロピンの  
課題克服



近視への私たちのアプローチは、患者さんの軽度近視から重度近視における Patient Journey から考えております。ベストインクラスの治療オプションを開発し、低濃度のアトロピンと組み合わせ、近視への包括的なアプローチを展開していきます。

そして、啓発活動であります。近視分野の KOL の協力が非常に重要であります。近視がどれほど深刻になるか、そして進行抑制の治療の必要性を啓発する必要があります。

そして、病理の解明、ドラッグディスカバリーなどを加速化するため、アカデミアと協働しております。低濃度アトロピンを製品化して、早く送り出したいと思っております。

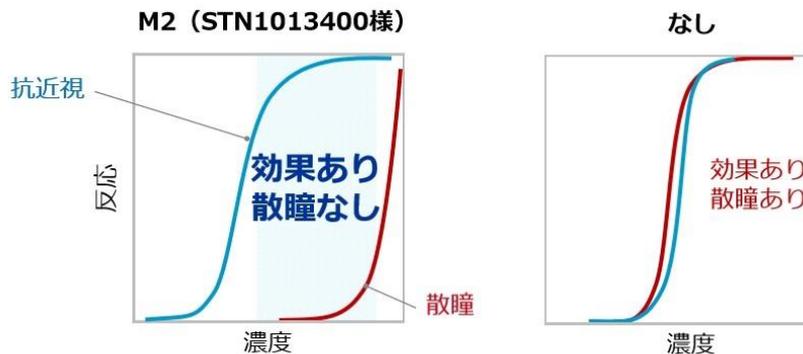
2) 疾患戦略：新規領域（近視）

**M2選択性を高めることで散瞳による眩しさを抑えた近視抑制剤を追求**

受容体サブタイプ	M1	M2	M3	M4	M5
抗近視*1	No	YES	YES	No	No
散瞳*2	No	No	YES	No	No

M受容体サブタイプ選択性

濃度反応曲線イメージ



スライド 19 です。

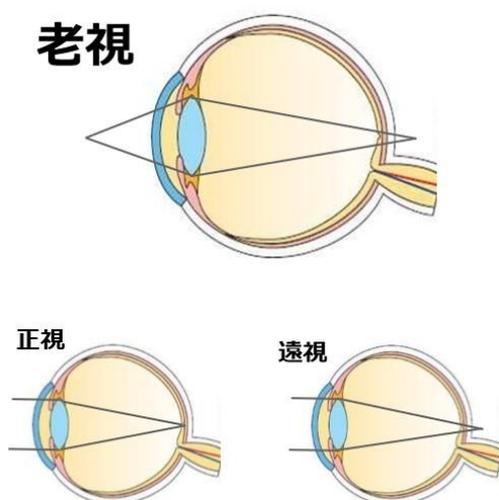
それでは、この化合物をどう選んでいったらいいのでしょうか。ムスカリンレセプターには、M1、M2、M3 などがあります。レセプターには抗近視と散瞳の役割があります。我々は近視を防ぐ役割がありつつ、散瞳しない化合物を選んでいます。

子供がアトロピン製品を使用後、「子供たちは眼がまぶしすぎる」、と言っていると両親はよく訴えています。散瞳が起こり過ぎると、たくさんの太陽の光が入るため、まぶしくなってしまうわけであります。

我々は、近視を治療しつつ散瞳が起こらない M2 レセプターを選択することにしました。この STN1013400 でありますけれども、今フェーズ 1 の段階であります。このグラフをご覧いただいたら分かると思いますけれども、これは抗近視と散瞳の間が広く空いており、こちらの方が好ましいということです。

## 2) 疾患戦略：新規領域（老視）

### QOLを著しく下げる、誰もがかかる疾患



- 水晶体の調節力（弾力性）が弱まり、**近くが見えにくくなる**
- 老眼鏡による矯正が必要で、**脱着が面倒**
- **肩こり、目の疲れ、頭痛、吐き気等**、いろいろな不都合が生じる

それでは、次のスライド 20 についてください。

こちらは老視であります。これは誰もがかかる疾患でありまして、QOL を著しく下げる疾患であります。これは高齢化の一環で誰もがかかる疾患であります。

しかし、これは中高年の人たちにとって、QOL を随分下げてしまう要因になってしまいます。老眼鏡・リーディンググラスを常に必要とするわけでありまして。高齢化により、水晶体の調整力が弱くなると近くが見えにくくなります。スマホを見たり本を読むためには、老眼鏡が必要になる。そうなると、肩こり、目の疲れ、頭痛や吐き気が起こったりすることがあります。

## 評価系構築から手掛けニューフロンティアを切り開く

「働き盛りの中高年を見えづらい  
煩わしさから解放する」ためのアプローチ



水晶体の弾力性を維持する  
薬の可能性追究

早期POC\*確認

非臨床評価系の確立

臨床指標の確立

スライド 21 をお願いします。

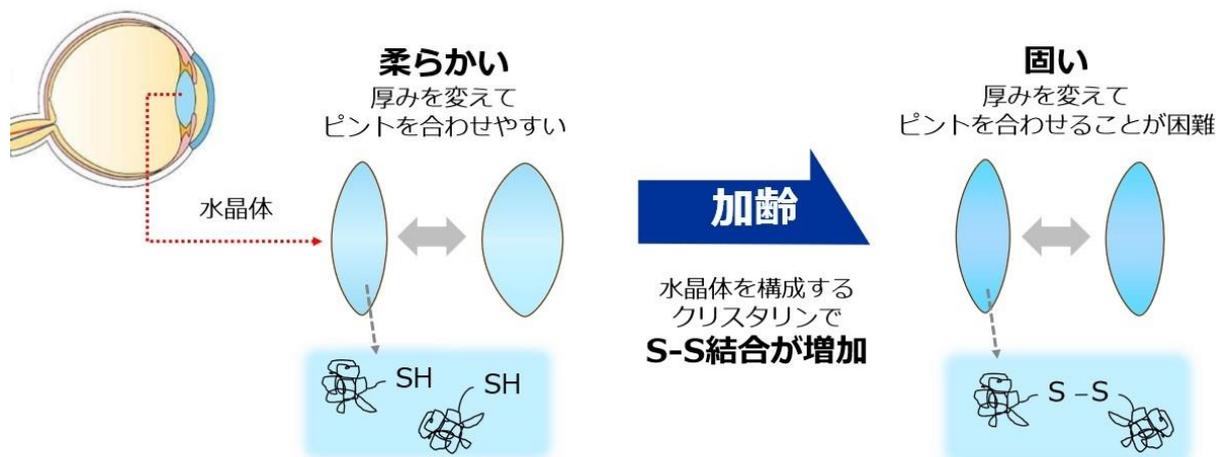
我々は、評価系構築から手掛け、ニューフロンティアを開拓していきます。ここでは、私たちのアプローチを示しています。働き盛りの中高年を見えづらい煩わしさから解放するためのアプローチです。

様々な候補の化合物を探究しています。多くの会社がピンホールの効果に注目しております。しかし、これは一時的に有効ではありますが、新たなフロンティアを迅速に立ち上げるために、我々は非臨床評価系を開発しました。

我々は、臨床指標の確立と早期に POC の確立を目指しています。

2) 疾患戦略：新規領域（老視）

現在最も有望視されている機序から挑戦。候補化合物を特定済み



水晶体の弾力性を指標に、**開発候補化合物を選定**

老視の治療開発において、最も有力視されている機序から取り組み・挑戦をしています。そして、候補化合物は既に特定済みであります。

老視は、加齢により水晶体の弾力性が低下し、そして厚みが変わりづらくなる現象から起こります。加齢により、水晶体を構成するクリスタリンで S-S 結合が増加します。我々は化合物を特定し、迅速に POC を行ってまいります。

2) 疾患戦略：基盤事業（ドライアイ）

要件に応じた製品を開発・販売

さらなる拡大を通してイノベーションをリード

要件	薬効	Santen製品	パイプライン
<p>マイボーム腺 油層 液層 目の表面の細胞</p>	<p>マイボーム腺異常 脂質分泌促進</p> <p>油層異常 保水・油層保護</p> <p>涙液異常 ムチン分泌・涙液産生</p> <p>角膜上皮障害 抗炎症</p>	<p>—</p> <p>ヒアレイン</p> <p>ジクアス</p> <p>Ikervis</p>	<p>STN1010905 その他</p>

次に、ドライアイであります。

要因に応じた製品を開発・販売、さらなる拡大を通してイノベーションをリードしていきます。

ドライアイ治療剤において、我々はグローバルリーダー的な存在であります。世界中で上市されているドライアイの製品は三つ（Santen 追記：6つ）あります。そのうち三つが Santen 製品であります。

ドライアイのアプローチといたしましては、三つのターゲットがあります。一つ目が油層、液層、そして角膜上皮があります。適切な製品を使って、これらに対処していく必要があります。まず、薬効といたしましては、保水・油層保護、ムチン分泌・涙液産生、そして抗炎症があります。

マイボーム腺異常によるマイボーム腺機能不全（MGD）は、ドライアイとは異なる疾患であります。ただし、兆候と症状はドライアイと類似しております。MGD は、前眼部疾患（FOFE）の1つです。

地域ごとに規制要件が異なるため、グローバルに治験を実施することは困難です。また、セルフメディケーションとして店頭販売（OTC）が必要となるなど、地域ごとに治療方法が異なります。また、規制によって、米国では症状と兆候の評価を同じ治験で求められます。また、EU や米国では、セルフメディケーションの需要が高まっています。

## 2) 疾患戦略：基盤事業（緑内障）

### 協働を通じて眼圧下降剤以外のソリューションに挑戦

「点眼の負担を最小限にして生涯にわたり  
視野を守る」ためのアプローチ



MIGS  
外科的手術への対応

視野障害を抑制するための  
視神経保護

緑内障におきまして、我々は協働を通じて眼圧下降剤以外のソリューションに挑戦しております。

我々は、緑内障においてもグローバルリーダーであります。緑内障に関しまして、外部の研究所と協働してソリューションを追求しております。また、眼圧下降剤以外のソリューションに挑戦しております。眼圧下降剤が唯一の選択肢ではないと考えます。

多くの緑内障の患者さんは二つ、三つの点眼剤を使い分けることが求められております。しかしながら、これは非常に難しいわけであります。効果の実感が難しいのです。といいますのも、緑内障といいますのは、視野の低下、進行が非常に緩やかであります。また、痛みを伴わないことがありますので、二つ、三つの点眼剤を使い分けて、さらに効果の実感を得るのが非常に難しいわけです。したがって、より少ない点滴回数の治療が必要です。

対策の1つは、外科的手術であります。そして、視神経保護、これについてはもう少し詳しく触れたいと思います。

世界中の多くの研究者が効果的な化合物、具体的な MOA を持った化合物を探しています。しかし、治験が非常に難しく、しかも十分な安全性マージンのある化合物候補を探すのが難しいためです。

臨床試験には3～5年の長い時間がかかります。ヒトの臨床試験で薬剤の効果を証明するためには、膨大な患者登録と長い開発期間が必要になります。また同時に、十分な安全性および有効性を担保しなければいけないということで、Santen が外部の研究所と協働しております。

### 3) ネットワーク

#### 年間約100件の新技術やモダリティを評価



Santen は、年間 100 件以上の新技術やモダリティを評価しております。あらゆる機会を探求しています。

100 以上の新しい技術ということです。これは、これだけの数の評価ができるということは、それだけ信頼をいただいていることの表れではないかと思えます。

我々は、スタートアップとしては PeptiDream、jCyte と協業しております。また、確立された製薬会社・化学企業としては、ベーリンガーインゲルハイムやエーザイ等がありますし、またアカデミアとの協働もごさいます。

### 3) ネットワーク

## 世界中の権威ある研究機関と共に眼科医療をリード



我々は、世界中の権威ある研究機関と共に眼科医療をリードしてまいります。

先ほどもお伝えしましたが、例えば日本であれば、網膜色素変性症においては神戸アイセンターと、そして発表がありましたとおり、アジアでは 2017 年から SERI、シンガポール眼科研究所との協働があります。ここは、眼科のあらゆる分野でランキングトップであります。世界中でよく知られている研究所であります。

また、アメリカではハーバード大学、マサチューセッツ感覚器病院とコラボレーションしています。これは、ハーバードメディカルスクール系列の病院であります。また、英国ではウルスター大学と協働しております。緑内障、そして網膜における新規、かつ、他にない治療を追求しております。網膜の免疫システムや視神経保護をターゲットにしております。

2016 年によりユニバーシティカレッジロンドン、眼科リサーチ研究を行っております。

眼科研究において、網膜や視神経保護など未充足の医療ニーズを満たすことができる治療法を探るフレームワークを協働しています。これをご覧いただいても分かりますように、我々自身だけではなく、やはり外部とパートナーシップを組んでいくことが重要ではないかと考えております。

## リーダーシップ

# 新しいリーダーシップチームにより、 疾患戦略を深化させ、将来の医薬品候補の探索を強力に推進



**レザ・ハック**  
眼科イノベーションセンター  
本部長



**廣瀬 威夫**  
眼科イノベーションセンター  
副本部長



**シュリーニバス・マドゥンバ**  
モダリティ・イノベーショングループ  
バイスプレジデント



**ナージ・シャリーフ**  
グローバルアライアンス&エクスターナル  
リサーチグループ  
バイスプレジデント



**エリー・チャビ**  
緑内障戦略グループ  
部長  
バイスプレジデント



**アブ・アブラハム**  
後眼戦略グループ  
部長  
バイスプレジデント



**島田 久生**  
前眼部戦略グループ  
部長



**今中 崇博**  
臨床薬理・バイオマーカー室  
部長

我々こちらは、リーダーシップチームであります。新しいリーダーシップチームにより、疾患戦略を深化させ、将来の医薬品候補の探索を強力に推進しております。

ご覧のとおり、前眼部、後眼部、そして緑内障、またモダリティ、グローバルアライアンス、エクスターナルリサーチ、臨床薬理、バイオマーカーといったリーダーシップの構成となっております。

以上です。ご清聴ありがとうございました。



ピーター・サルスティグ  
MD, MBA  
執行役員  
製品開発本部長

1. Santenの製品創製に対する考え方
  2. 患者ニーズに基づいたパイプライン拡充
  3. 製品開発の着実な推進による付加価値の追求
  4. 事業化・商業化を通じたポートフォリオバリューの向上
  5. 総括
- Appendix

**サルスティグ**：皆さん、おはようございます、そして、こんにちは。ピーター・サルスティグと申します。私は製品開発本部長、そして執行役員をしております。

グローバル R&D の中で実行している我々の計画と変革についてお伝えできることをうれしく思っております。これは、医師、保険者（Payer）、そして最も重要なのは患者さんのお役に立つためのものであると信じております。

それでは、その詳細についてお伝えしたいと思います。

#### 製品開発本部のミッション

**POCが確認されたパイプラインの価値最大化を追求しつつ、確実に製品化**



1) 開発戦略



2) 製品価値最大化



3) グローバル  
オペレーション  
エクセレンス

スライド 29 ページです。

開発本部の中でフォーカスを当てておりますは、プロジェクトプログラムをなるべく速く動かしていくこと。POC の段階というのは、MOA をまず理解する段階から製品化まで、このプロセスを速く回していきたいと思っております。

メカニズムの理解といったことが開発戦略へと変換されていくわけではありますが、その中には患者さんの声を取り入れていきます。また、市場のニーズを取り込むということです。このニーズというのは、もちろん薬事当局、そして商業化の観点のニーズも取り込んでおります。そして、その開発の戦略を固めていくわけであります。

さらに、我々の能力改善、すなわちどのようにすれば、我々のプログラムのライフサイクル管理を最大化できるのかという、その能力を改善するわけであります。そして、我々は、ライフサイクル管理に常に投資をかなりしてきたわけでありまして、さらに差別化を今後はしていこうと思っております。

すなわち、それはただ単に、例えば患者さんの利便性を良くするといったこと、すなわち患者さんに握りやすいボトルにする、もちろんこれも非常に大事ですけれども、それだけではなくて、もっと他の疾患エリアを探索しよう。今まで探索していなかったエリアを見ていこうと思っております。

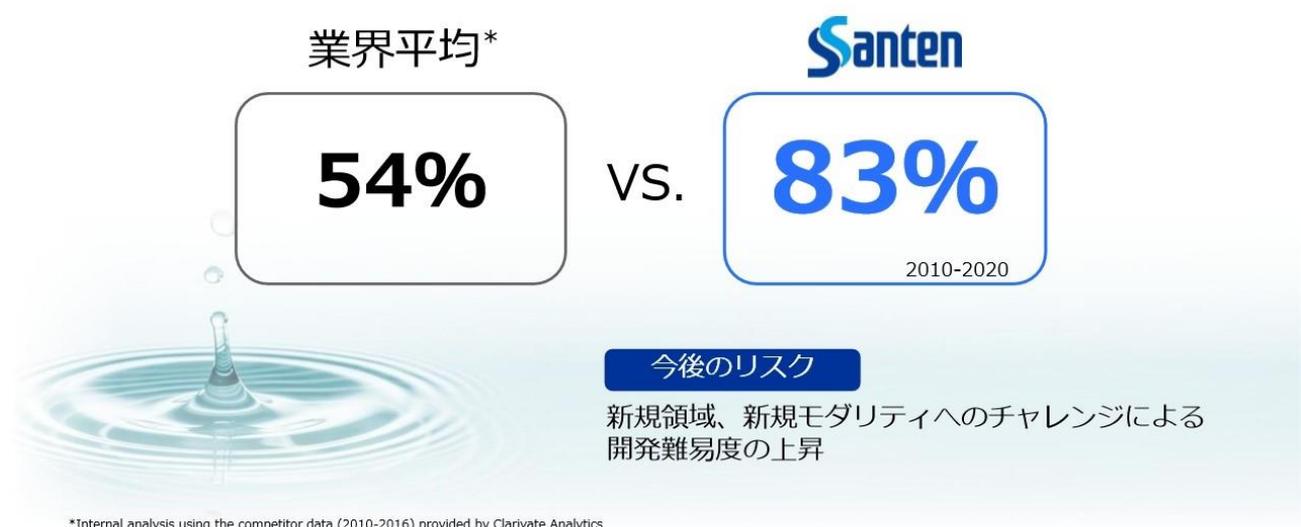
患者さんのために、この価値を最大化していくこと。しかし、そのおおもとになっているものは非常に強いオペレーショナルエクセレンスへのコミットメントがあって、初めてできることであります。これによりまして、成功のステージがセットされるわけであります。これは、日々のオペレーションの観点からも、さらに戦略的な観点からも言えることであります。

こういったものを全て総括しまして、グローバルなフットプリントの中に取り込んでいく。すなわち、各市場を理解することにつなげていくわけであります。

それでは、あと 20 分ぐらいで、もう少し詳しくお話しいたします。

## 1) 開発戦略

### 業界平均よりも高いフェーズ3試験の成功確率を今後も維持



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

30 Santen

30 ページをどうぞ。

業界標準と比べていきたいと思いますが、Santen はプロジェクトの実行に、ほかのところよりも成功してきたと思います。特にこの 10 年を振り返ってみますと、成功率は業界平均 54%に対して当社は 83%と非常に優れていると思います。

特にももちろん日本、ホームマーケットで成功率は高いわけですが、日本だけではなくて、最近では我々の能力をアジア、ヨーロッパなどに広げてきています。そして、最近ではフォローしていただいている方はご存じだと思うんですけど、Verkazia 承認をアメリカで取ることができました。

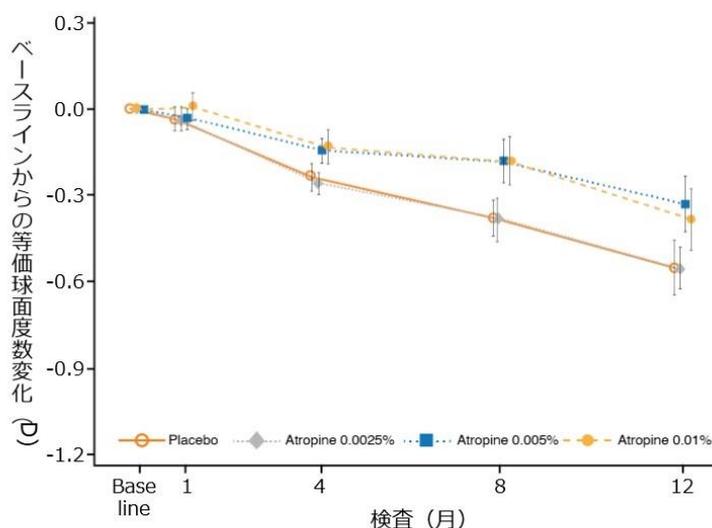
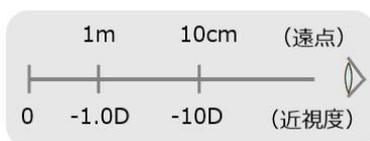
といったようなことで、もちろんハードル、そして当局の要件はどんどんと厳しくなっていること、また保険者の要件も厳しくなっていることは認識しております。しかしながら、過去の歴史をもとに、非常に我々は良い位置にいると思います。どのように取り組んでいるか、詳しく説明します。



## 1) 開発戦略 (近視)

### STN1012700は球面度数の変化を抑制\*

#### 1) 等価球面度数



スライド 32 ページで示しているものでありますけれども、これは 1 次評価項目、主要評価項目であります。

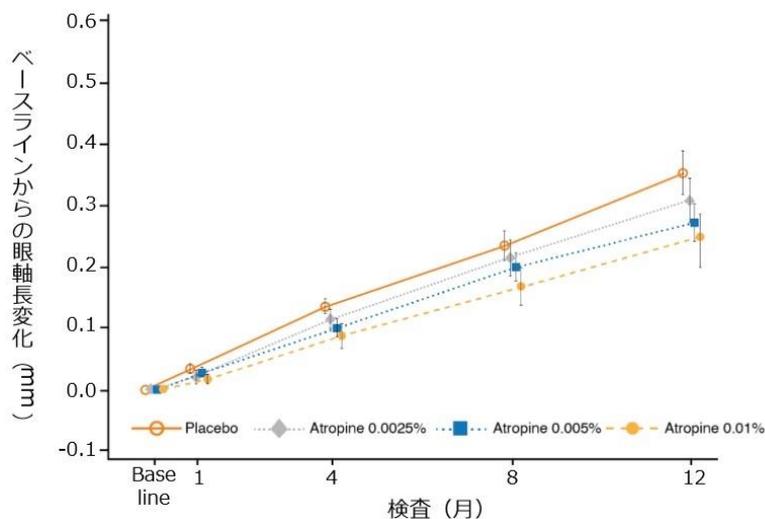
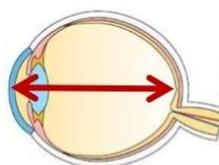
こちらは等価球面度数の変化であるのですが、こちらが基本的に示していますのは、この等価球面度数の変化のインパクト、それがどのように日常生活に意味を持ち合わせるのかということ、変化をもたらすのかということであります。

アトロピンの作用でありますけれども、この高い方の濃度、0.01%、また 0.005%という濃度は、プラセボに対して良好な結果を得られました。我々が達成しようとしているドラッグレスポンスを示しました。

## 1) 開発戦略 (近視)

### STN1012700は眼軸長の延長を抑制\*

#### 2) 眼軸長



そして、もう一つ見ているファクターであります、それは眼軸長であります。

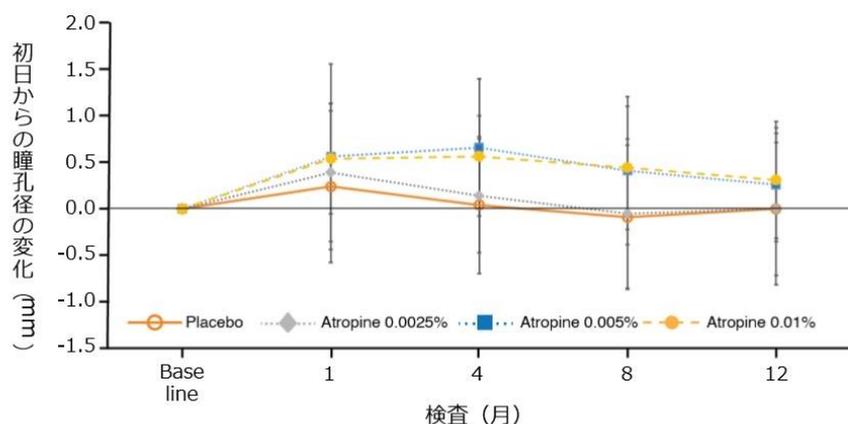
近視は、眼軸長がずっと継続的に延長していく傾向を持ちます。そして、眼球が伸びていくということは、光線が網膜に達しないため近視となります。こちらにあるように、やはり 0.01%、また 0.05%という濃度の薬剤のほうが、プラセボに対しまして統計的有意に作用しているのが分かると思います。そして、眼軸長の延長の抑制ができています。

ということで、二つのエンドポイントをお話ししました。我々の STN1012700 がプラセボに対しまして良好であるという、評価項目を二つ示せたと思っております。

#### 1) 開発戦略 (近視)

### STN1012700は瞳孔径にほとんど影響せず\*

#### 3) 瞳孔径



最後に、患者さんがよく訴えられる散瞳、いわゆるまぶしさということでもあります。この瞳孔のサイズであるんですけども、この瞳孔の径につきましては、高い方の濃度のものであっても、あまりサイズが変わっていないことが分かります。

確かに、フレア、散瞳は起こりますが、統計的な有意差であるほど、高濃度のものが増えることはないと感じております。

## 1) 開発戦略

# 眼科関連医療従事者および規制当局との連携を活かした 一貫通貫の開発体制を構築



それでは、次のスライドにいきたいと思います。

臨床試験のデータについて、少しお話をさせていただきました。しかし、これはパズルの1ピースにしかすぎないと思っています。全てのものの一番前面にあるのは、患者さんです。そして、ここで確認したいのは、患者さんがまず病院に行ってお医者さんに対峙されるとき、自分が受けたい治療を受けているのか、そして必要な答えを医師は与えているのだろうか。そこで、コミュニケーションの重要性が出てきます。

特に130年の会社の歴史の中で、我々は医師との協力を常に重要視してきました。最初は日本で、最近では日本の外でも医師とのコミュニケーションを大事にしています。患者さんのニーズを理解するために。特に私たちのインサービス・オブ・ペイシェント、イニシアチブ ISOP を始めました。それによりまして、さらにより良い臨床試験が実行できると思っております。

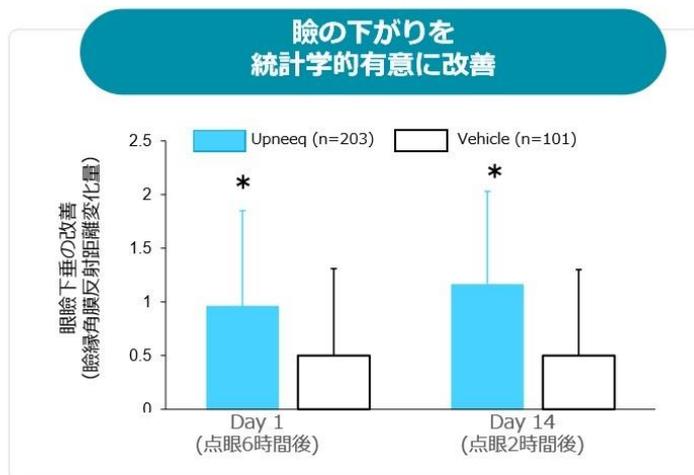
また、当局とも連携しております。特に、新しい技術を採用する際には、当局に対して積極的にデータを共有し説明することで、相互理解を確認しながらコミュニケーションを取っています。

社内においては、営業と製造の組織は、患者さんや医師が望むものしっかりと理解し、市場へ製品・サービスを提供しています。

## 1) 開発戦略 (眼瞼下垂)

# Upneeq点眼で瞳孔中央からの瞼の下がり (距離) を有意に改善

## フェーズ3試験 (US)



そして、もう 1 点、非常に興味深いプログラムを実行しております。これは眼瞼下垂に関するものであります。

眼瞼下垂であります、ご存じのとおり、どちらかといいますと人生後半になって起こる疾患であるんですけども、少し若いときに起こることもあります。いろんなトリガーがあるので、トリガーによっては若いときに起こることもありますが、特徴としましては、まぶたが下がって見えるということです。

このデータの見方ですけれども、これは一つ、瞼縁角膜反射距離を表しています。これは、光の反射から上まぶたの端までの距離であるわけであり、右側のデータは、米国で実施された重要な試験からのものです。統計的有意性を確認できます。

こちらにありますように、ピボタルトライアルが、Osmotica で行っているトライアルであります。こちらにおきましてオキシメタゾリンを早い段階、例えば Day 1 の 6 時間後にとると、統計的に有意差が出ています。そして、次回のテスト、14 日目で点眼 2 時間後でも、やはり有意差が維持されています。これは非常にエキサイティングな結果であります。

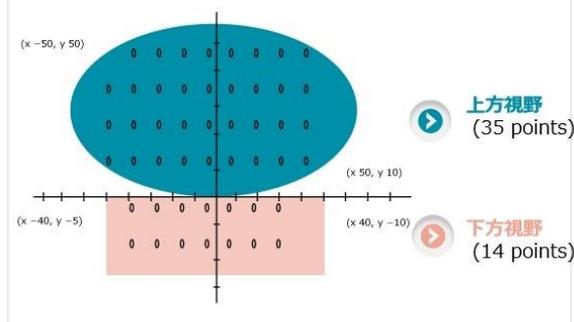
それでは、他のデータを見ていきたいと思います。

## 1) 開発戦略（眼瞼下垂）

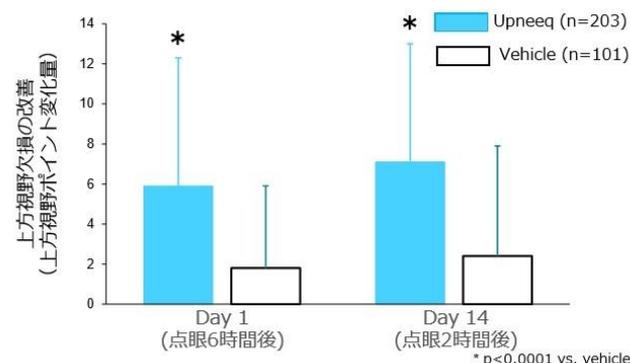
### レスター周辺視野検査においても上方視野欠損を改善

#### フェーズ3試験（US）

##### レスター周辺視野検査による上部視野測定



##### 上方視野欠損を統計学的有意差を持って改善



#### 米国データに基づき、アジア/日本で初となる開発に挑戦

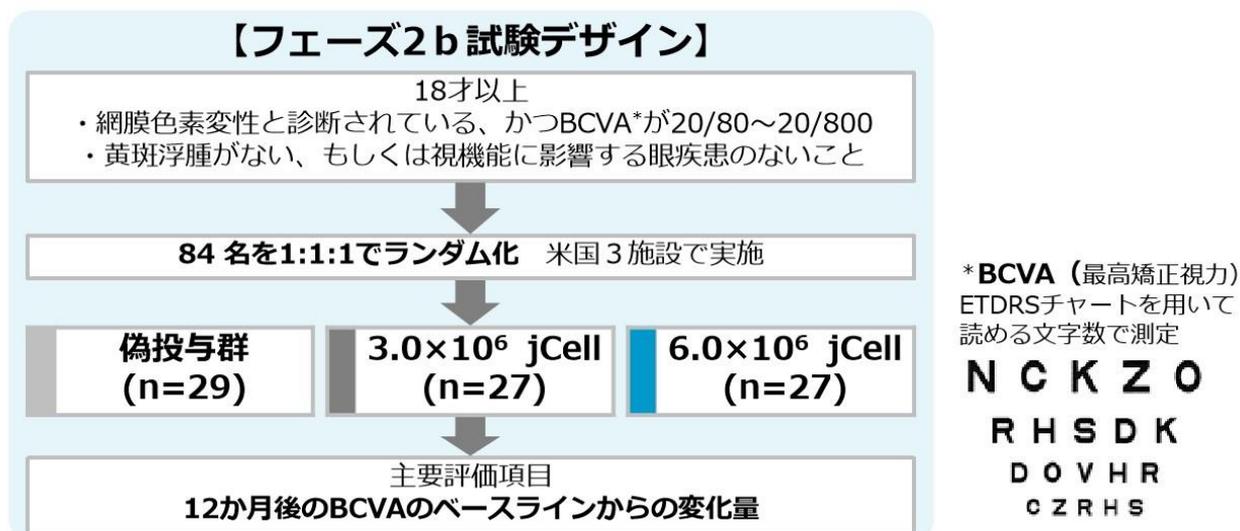
37 枚目のスライドでありますけれども、こちらは LPFT と呼ばれるレスター周辺視野検査器を使ったテストです。これは上方視野をテストするやり方でありまして、35 ポイントのスケールで測定をします。

フェーズ 3 の一つの重要な評価項目なのですが、1 日目においても、14 日目においてもやはり統計的な有意差が出ています。

次のステップは、CPP（Certificate of a Pharmaceutical Product）を利用して、なるべく早くアジアで申請することを計画しております。眼瞼下垂の患者さんにとってエキサイティングなニュースになると思います。

1) 開発戦略（網膜色素変性症）

遺伝だからとあきらめない。細胞治療で新たなアプローチを実施。



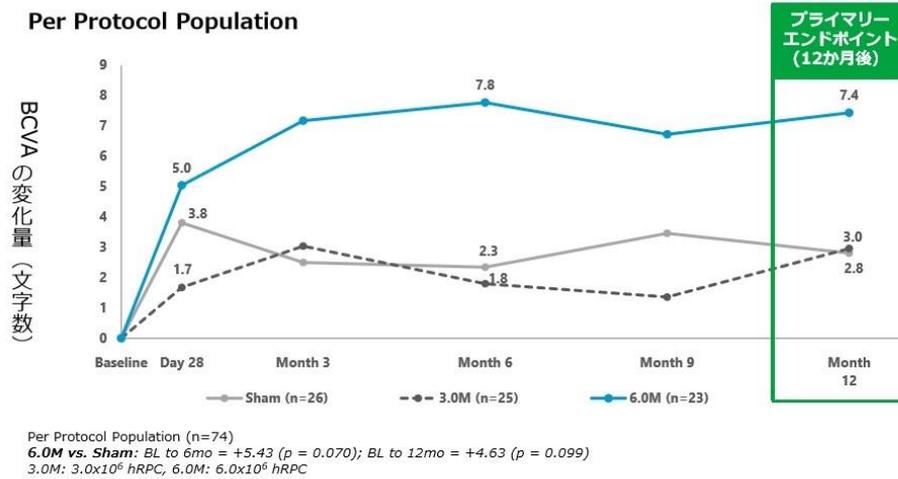
もう一つ、非常にインパクトの強い疾患が、網膜色素変性症であります。

これは非常に大変な疾患だということは、皆さんご存じだと思います。早い時期にこの疾患に罹患した方は、成人に達する頃にはほとんど失明される方が多いわけでありませう。

私たちは jCyte と協力し、84 名の被験者を対象に、2 つの用量、300 万セルのアーム、および 600 万セルのアームに 1 対 1 の無作為化比較試験をしました。主要評価項目は、平均最高矯正視力、BCVA の 12 カ月後の値です。

1) 開発戦略（網膜色素変性症）

**偽投与群と高用量投与群の間で、  
BCVAの変化量に違いがある傾向が示された**

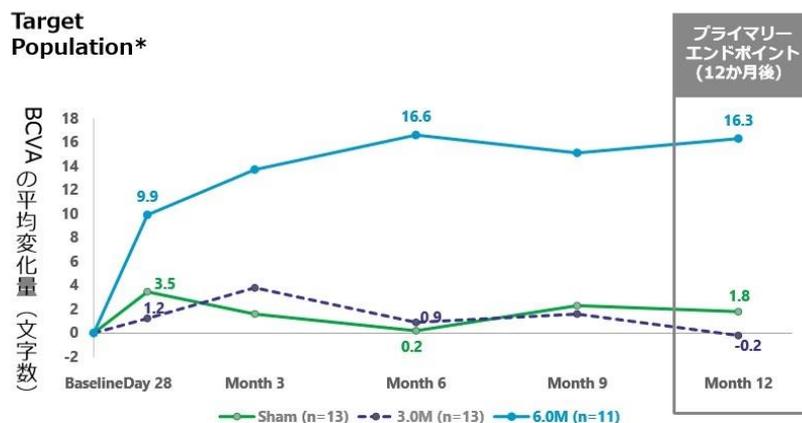


39 ページ目のスライドであります。このデータを見るときに、こちらは一つのプライマリーアナリシスの一つですが、全体的な患者群を見ていくとトレンドが見れます。これは意味のある違いが見てとれるわけでありです。

7.4 文字ぐらいの改善が見られます。これ自体非常に良いんですけども、さらにサブグループでは、もっと良い成果が得られてます。それを次のスライドでお見せいたします。

1) 開発戦略（網膜色素変性症）

**層別解析では高用量群が偽投与群と比較し、  
12ヶ月後のBCVAの平均変化量で改善**



\*Target patient population (n=37), 6.0M vs sham: baseline to 6 months = +16.45 (P=0.002); baseline to 12 months = +14.43 (P=0.003).  
 BCVA, best corrected visual acuity; ETDRS, early treatment diabetic retinopathy study; M, million.  
 Santen data on file: jCyte. jCell presentation, 27 October 2020. 3.0M: 3.0x10<sup>6</sup> hRPC, 6.0M: 6.0x10<sup>6</sup> hRPC

スライド 40 ページ目ではありますが、そのサブグループの分析であります。

基本的にこちらが示している成果であります。特定の患者ポピュレーション、三つの変数があるんですが、サブグループに入るためには、そういった変数を兼ね備えたグループの人たちです。次のステージの計画を進めるため当局に確認中です。16.3 文字という大幅な改善があり、増加が見られたことあります。三列改善したといってもいいと思うんです。

ターゲットを絞ったアプローチですが、網膜色素変性症の患者にとって息をのむような結果が得られました。

## 2) 製品価値最大化

### 圧倒的な製剤開発力 -安全性向上へ継続的な製品改良



Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

アレジオン: 提携パートナーである日本ベーリンガーインゲルハイムの商標

41 Santen

イノベティブなプログラムについてお話をまいりました。これらをできるだけ早く患者さんへ届けたいと考えております。それと同時に、忘れてはならないのは、我々の基礎となる強みであります。Santen の強み、これが私たちを前進させてくれてもいます。130 年培ってきた強み、基盤であります。我々の強みは、オリジナルの製剤をより最適化していく、よりロジカルに改良していくことあります。

様々なかたちで製品を改善、改良していくことが可能なわけではありますが、例えば塩化ベンザルコニウムが製品に含まれています。これは有効性に影響します。しかし、地域によっては、この塩化ベンザルコニウムは充血につながるため、望ましくないとされるところもあります。したがって、塩化ベンザルコニウムを低減する必要がある地域もあります。また、地域によっては、BAK フリーが求められる場合もあります。我々のケイパビリティをもって、BAK 低減もしくは BAK フリーのソリューションを提供することができます。また、防腐剤フリーにより安全性をさらに向上させることができます。

このような製剤の改良は、我々の得意とするところであります。

## 2) 製品価値最大化

### 圧倒的な製剤開発力 -患者さんの服薬コンプライアンス向上



我々のケイパビリティを示すもう一つの例であります。

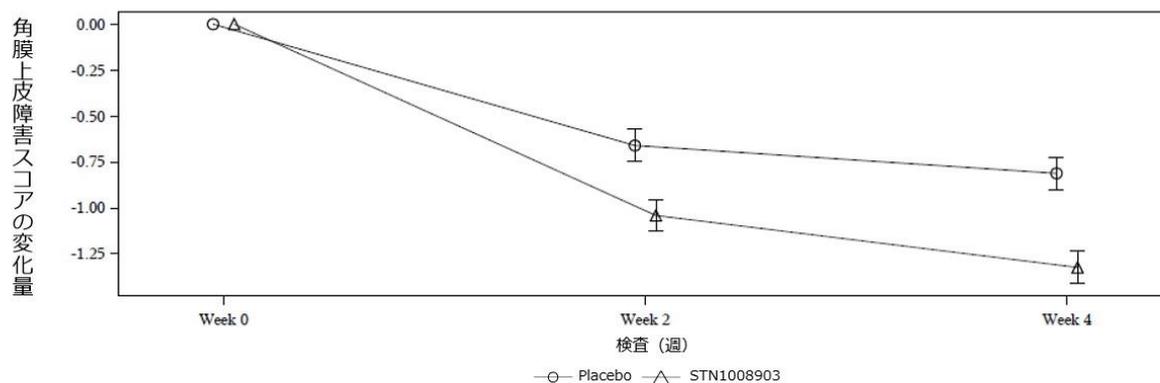
右側をご覧いただきたいんですけども、こちらは現行のジクアスであります。非常に優れた製品であります。ただ、患者さんは、点眼回数 1 日 6 回というのが負担であると感じられるということでありました。

我々は、点眼回数を 6 回から 3 回に減らす取り組みを行いました。こちらのデータを紹介したいと思います。

2) 製品価値最大化 (ドライアイ)

**STN1008903 (ジクアス新製剤) は、角膜上皮障害抑制効果を維持。  
2021年8月30日に日本で承認申請完了**

### フェーズ3試験 (日本)



こちらのデータを皆さんに共有したいと思います。

1日6回の点眼から1日3回の点眼へと減らすことによって、統計的有意を示すことができるわけであります。つまり、主要評価項目を達成することができるということです。そして、角膜の上皮障害を抑制する効果も維持ができていて、さらに患者さんの負担を軽減することができます。

この治験に関しましては、PMDA に対して 8 月 30 日、1 カ月ちょっと前に日本でデータ申請をしておりますので、この新しい改良版のジクアスを日本の患者さんにお届けすることができるということで、非常にうれしく思っております。

2) 製品価値最大化 (ドライアイ)

**点眼回数減による負担感軽減。  
患者さんの点眼の煩わしさを大幅に改善**

### フェーズ3b試験 (日本)

終了後のアンケート

どちらの点眼を煩わしいと感じましたか？

1日3回群 7/59 (**11.9%**)  
STN1008903

1日6回群 52/59 (**88.1%**)  
現処方ジクアス

次、44 ページです。

点眼回数の負担感についてです。患者さん視点に基づき、実際に患者さんが1日6回もしくは3回の点眼の煩わしさをどう感じているのかを聞いてみました。どのようなニーズがあるのか、どのように感じておられるのか調査を行いました。

数字はそれを物語っていると思います。非常に大きな差があることが明らかになり、新製剤に望ましい結果になりました。これも非常にエキサイティングな結果です。

## 2) 製品価値最大化

### 眼科専業らしく細かなニーズに対応



そして、もう一つ、ニーズに対してソリューションを提供していくことを考えますと、いくつかのアプローチがあると思います。

まず、我々にとって非常に重要なのが、やはり環境への影響であります。その一環として、私たちがイノベーションを追求して取り組んでおりますのが、ボトルであります。バイオマスを 100% 利用するボトルということで、我々はこれを誇りに思って取り組んでおります。2030 年までには 100%、このバイオマスプラスチックボトルへと移行できていればと考えております。

患者さんにとって、より良いもの、防腐剤フリーの PFMD、マルチドーズのボトル、これはヨーロッパ、アジアで需要がありますので、こちらについてもボトルを改良していきたいと考えております。

最後に、点眼補助具、これは大ヒットしておりますけれども、これにつきましても改良版に取り組んでいるところであります。

最終的には、やはり環境にとって正しいこと、優しいこと、そして患者さんにとって正しいこと。これは、ひいては Santen にとってもプラスになると考えます。

### 3) グローバルオペレーションエクセレンス

## プロジェクト立上げ当初からグローバル開発を実行する体制へ

日本で開発・上市 → 海外で展開

- ✓ グローバルで臨床開発する統括部門を設置
- ✓ 中国での製品開発強化のため、中国R&D統括部門を設置
- ✓ グローバルプロジェクトマネジメント機能強化  
→ 開発戦略の精緻化をはかる

**迅速かつ最も効率的に製品を開発**

イノベティブなプログラムについてお話をしてまいりました。そして、製剤開発力の強さについてお話をしてきました。その基礎、基盤になりますのが、人であります。そして、人々がつくり上げるカルチャーであると考えます。

我々は、この2年ほど、体制を構築してまいりました。我々の戦略の一環として、つまり日本のみでの開発、上市から海外へと展開していく中で、グローバルで臨床開発をする統括部門を設置いたしました。これをもって、我々は次のステージへと前進することができます。

その一環として、中国 R&D 統括部門を設置します。そして、真のグローバルな組織になるということで、適切なステップを踏んでいると思います。やはり中国、アメリカがこれから10年先端をいくことになりますので、中国、US、特に優秀な人材を確保する必要があるわけであります。

また、これら全てを統括するという意味におきまして、グローバルプロジェクトマネジメント機能を強化してまいります。これにより、開発、そして開発の戦略を早期のリサーチから、商業化まで加速し、統括することができます。これら全てを実現することによって、より速い、より効率の良い製品開発が可能になると思います。ただ、やはり一番重要な要素は人であります。

### 3) グローバルオペレーションエクセレンス：US開発

## USでの臨床開発経験豊富なメンバーを招集。 新たな知見を社内浸透させることで成果を蓄積中

#### 開発体制

- **グローバル統括部門**を設置  
US、EMEA、日本、アジアの各地域の臨床開発部隊を統括

#### 開発 プロセス

- **FDAとの密な協議**によるUS臨床試験デザインの精緻化
- US Principal Investigators とのパートナーシップ強化
- **US治験施設選定プロセス強化**
- **米国保険社（Payer）とのエンゲージメント強化**
- 臨床試験の一部 **リモート化を実現**

#### 実績

- STN1012600：US P2試験 **前倒し実施**、EU 探索的試験開始
- STN1007603：US **承認取得**
- STN1011700：US承認申請（PDUFA date, 2021年11月19日）



**ウダイ・アルルマーニ**  
臨床開発統括部  
統括部長  
バイスプレジデント

それでは、地域ごとに見ていきたいと思います。

まず、米国であります。正直なところ、これまで過去、米国ではあまり成功を収めることができておりませんでした。その原因の一つとして、有能な人材を確保することができなかった、難しかったということでもあります。

これは、やはり我々のアメリカにおける認知度の低さにあるのではないかと思います。日本におきましては 130 年の歴史がありますので、人材をひきつけるという意味では、それほど苦労はしてこなかったわけでありますけれども、アメリカにおいてはそれが難しかった、厳しかったということでもあります。

オペレーションのグループ、そしてグローバル統括部門を設置いたしました。これまでも話にありました、オペレーションエクセレンスであります。これをもって、医師とのやり取り、また当局とのやり取りが、よりうまくできるようになるということでもあります。我々の製品がきちんと評価されると、そしてペイヤーとも事前に話し合いができるような環境を整備しております。

最近でありますけれども、このパンデミックによって加速されたのが、デジタル化の取り組みです。臨床試験のモニタリングが一つ、例として挙げられます。

そして、最終的に、チームがきちんと成果を出すことができることが重要なわけでもあります。我々の持つ人材で成功を収めることができると信じております。

## Best-in-Class 製品開発のため中国の機能をさらに強化

### 開発方針

- 中国の薬事と患者のニーズを把握し、  
**グローバル並行、あるいは中国単独開発**

### 開発体制

- **統括部の設置**  
臨床開発機能とプロジェクトマネジメントを強化

### 開発プロセス

- 中国当局との協議を確実に実行
- **臨床試験サイトを中国全土に展開**
- 患者リクルート会社と契約し臨床試験を加速
- **KOLや当局とのコミュニティー形成**



**森島 健司**

執行役員  
中国製品開発統括部  
統括部長

次、48 ページです。

アメリカの話をしました。アメリカとともに中国も非常に重要なマーケットの一つであります。中国のリーダーは森島です。中国製品開発統括部を設置しました。臨床開発をプロジェクトマネジメントにより時間・予算通り進捗し、当局と連携して進めています。

また、当局とのやり取りも同様です。アメリカでしていることを、中国で同様にしていくということです。当局、医師、そして最も重要なのが患者さんとの交流であります。これは、我々のする全てにおいて中心となります。このような取り組みにより、我々は競合に対して差別化を図ることができると考えております。

強いリーダーシップがなければ成功することはできないわけあります。

## リーダーシップ

# 新しいリーダーシップチームにより、 基盤事業だけでなく新規領域の薬剤開発も着実に推進



**ピーター・サルスティグ**  
執行役員  
製品開発本部  
本部長



**森島 健司**  
執行役員  
中国製品開発統括部  
統括部長



**ウダイ・アルマーニ**  
臨床開発統括部  
統括部長  
バイスプレジデント



**山田 和人**  
製品研究統括部  
統括部長



**フラビオ・リマ**  
グローバル・メディカル  
アフェアーズ  
バイスプレジデント



**フランツ・バッフォルツァー**  
薬事統括グループ  
部長  
バイスプレジデント



**ケイ・タツオカ**  
データサイエンス  
バイスプレジデント



**ジャンセバスチャン・カリグ**  
EMEA研究開発  
バイスプレジデント



**松本 良和**  
プロジェクトマネジメントグループ  
部長



**田中 洋志**  
R&D 品質管理グループ  
部長



**松本 雄**  
R&D ストラテジックオペ  
レーションズ  
部長

こちらは、最後のスライドです。49 ページです。

新しいリーダーシップチームが結成されております。非常に誇りに思っております。ご覧のメンバーとなっております。

森島は、紹介したとおり、中国製品開発統括部長です。そして、ウダイ。彼は、グローバルの臨床開発統括とオペレーションを担当しています。戦略の実行、責任者でもあります。山田は、薬理、製品研究統括部長です。

また、変わりまして、日常的なラインファンクションとして、メディカルアフェアーズ、薬事もありますし、データサイエンス、また森島は中国の研究開発の責任者であります。ジャンセバンスチャンは、EMEAを担当する研究開発のバイスプレジデントです。そして、R&D、戦略的なオペレーションの観点から重要であり接着剂的な役割を担う R&D ストラテジックオペレーションズの部長である松本です。

我々は適切な人材がいると本当に信じています。この新しいリーダーシップの下で変革を進めております。期待値は高いと認識しておりますけれども、正しい方向に向かっていることは間違いなく言えると思います。

このメンバーで医師と共に、そして患者さんと共に協力し合い、そして医薬品を通じて「Happiness with Vision」を届けていきたいと思っております。ありがとうございました。



**坂井 比呂樹, Ph.D.**  
企画本部 戦略・ポートフォリオ戦略  
& グローバルマーケティンググループ  
グループ マネージャー

1. Santenの製品創製に対する考え方
  2. 患者ニーズに基づいたパイプライン拡充
  3. 製品開発の着実な推進による付加価値の追求
  4. 事業化・商業化を通じた  
ポートフォリオバリューの向上
  5. 総括
- Appendix**

**坂井**：ポートフォリオ戦略&グローバルマーケティングの坂井です。

本日は、私のセクションでは、ポートフォリオバリューを構成する最後のピース、コマーシャルバリューの構築についてお話しいたします。

既に資料をご覧になっている方もいらっしゃると思いますが、レザとピーターからお話がありました二つの主要な疾患、今後の新規成長領域である疾患についてお話をしたいと思います。商業化の話ですので、これまでのサイエンスの話とは少し違った毛色ですので、リラックスしてお聞きいただければと思います。

加えて、まず1疾患目のトピックに入る前に、少し皆さんにお願いがあります。一つ目の疾患を考える前に、まず皆さん、3歳から15歳のお子さんはいらっしゃいますでしょうか。もし、いらっしゃる方は、その子のお顔を頭に浮かべてください。もし、いらっしゃらない方は、親戚のお子さん、近いお子さんで結構です。

ありがとうございます。では、私のセクションに入りたいと思います。

## アトロピンのグローバル展開を皮切りに、眼科グローバル製薬企業の強みを生かし、グローバルマーケットをけん引



1 点目の話は、近視のお話です。

皆さんの頭には、もしかしたら皆さんのお子さんの顔があるかと思いますが、近視は幼少期から目が悪くなっていく疾患です。この疾患自体は不可逆性の疾患で、悪くなってしまうえば失明に至ることもあります。こういうものに対して、我々 Santen は 130 年の歴史とともに、アトロピンというソリューションを提供していきます。

まず、近視のビジネスに関しては、現在はグローバルではございません。これは Santen だけではなくて、グローバル全体としてありません。こちらに関して、我々は STN1012700 と、Sydnexis 社から導入した製品、このアセットを活用し、グローバルのマイオピアブランド、近視ブランドをつつていこうと考えております。

ここでも、近視のグローバル展開に関しましては、我々は既にヨーロッパ、日本、アジア、中国での試験、製品の供給をする、製品をつくることを想定しておりますし、そこに対して幅広いグローバルでの患者さんに提供できることが強みとしてあります。

加えて、こういう他地域の患者さんにアクセスすることで、たくさんのデータを得られる強みもあります。皆さんのお子さんの中でも、もしかしたら近視のお子さんとか、目が悪くなっているお子さんもいらっしゃると思いますけれども、皆さんのお子さんの近視がどの程度のものなのか、そういうものは、おそらく皆さんのデータの中から今後、見つけていけないといけないと思います。

こういうことを、Santen は強みとしてやっていくことができると考えています。

また、患者さんが非常に多いということも、皆さんもこれまでの情報の中で持っているかと思いますが、大規模な生産、大規模なサプライチェーンに関しましては、これは一朝一夕にできるようなものではありません。例えば、最近出

来上がったような会社が、こんな大規模生産ラインを持っていますでしょうか。なかなか、ここはそうとは言えないと思います。

また、こういう製品の場合、地域ごとの市場浸透も非常に重要になってきます。例えば、医師と連携した患者治療マネジメントですが、近視は慢性疾患です。眼科の慢性疾患に関しましては、基本的に我々は緑内障という疾患で、非常に強いプラクティスを持っております。この中で、先生と共に細やかな患者さんの治療マネジメントを実施していくのが、一つの大きな方向性だと思います。

また、地域ごとの流通構築もポイントかなと思います。流通というだけでなく、やはり患者の皆さん、患者の親御さんにきちんとした情報をお届けすることは非常に重要なことですが、おそらく皆さんの中でも、このコロナ禍で遠隔診療だったり、リモート診断を経験された方もいらっしゃると思います。このようなものを使って、正しい情報を速やかに、そして、すぐに患者さんにお届けする構造をつくっていきたくて考えています。

#### 近視エコシステムの構築

### 医師との眼科の慢性疾患患者の治療経験と新規モニタリング技術の取り込みにより、近視患者治療マネジメント方法を確立

#### 患者さんの啓発・疾患モニタリング

**planoApp**  
World's 1st science-based screen  
time parental control app that  
protects your child's eyes



<https://plano.co/>

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

#### 医師と協働した治療管理

- ガイドライン構築
- 軽度・重症患者様の切り分け
- 適切な治療の組み合わせ
- コンプライアンス向上 etc.

#### 近視患者 マネジメント 方法の確立

日本・中国・アジア市場で  
医師・学会と

**眼科市場を構築してきた経験**

**グローバルで蓄積する  
近視患者データ**

52 ページです。

今、お話しした中で、やはり眼科の先生方と慢性疾患患者の治療をしっかりとっていくことは、近視においても非常に重要なことで、そこに関してはやはり患者さんの新規のモニタリング技術でしたり、そういうことを通じて近視患者さん治療マネジメント方法を確立していきたいと思っています。

これはレザのパートでお話があった、ISOP の患者さんからのメッセージでもあったものですが、ISOP で近視の患者さん、患者さんの親御さんにインタビューしたところ圧倒的に多かったのが、近視への関心は高いけれども、情報が足り

ない、正しい情報がないというところが多い患者さんの親御さんから聞かれました。また、今後お子さんを持つ方々からも、そういうお話が聞かれました。

こういうところから、我々はやはり患者さんを啓発するよりも、正しい知識をしっかりと皆さんにお伝えすることが非常に重要だと思っております。このようなものはテクノロジーの進化とともに、iPhone、スマホのアプリだったり、その他の診療ネットワークを駆使してやっていくことが重要と考えております。

既に Plano 社でしたり、Orbis といった会社、そのようなエコシステムをつつていく会社との連携によって、我々は正しい情報を必要な患者さん、患者さんの親御さんに、きちんと提供する手法を確立しようとしています。

また、医師と協働した治療マネジメントも非常に重要です。この辺りは、我々はドライアイの中でアジア、中国を中心にマーケットをつつてきた経験もありますし、その経験を利用することで、我々は先生方との信頼関係の中、近視の治療に対するスタンダード、そして近視に関しての治療のマネジメントをきちんとつくりたいと思っています。

幅広い地域で近視の治療薬を提供するというお話をしましたが、そこからくるグローバルの蓄積されたデータも、それを裏付ける非常に重要なキーだと思っています。

このようなものをもとに、我々は近視患者さんのマネジメント方法を確立していくことが重要と考えております。

グローバル需要に対応できる生産・サプライチェーン体制

## 世界最大級の眼科点眼生産キャパシティをもとに、 多くの患者さんのニーズに対応できる製品供給を実現

- ・ 大規模点眼薬生産：2020年度約**4億本**
- ・ 自動化・省人化による  
**大規模かつ低原価生産**を実現
- ・ 蘇州工場：  
中国眼科製薬企業で唯一のEU-GMPを取得  
**技術力・品質・生産能力**で唯一無二
- ・ 蘇州新工場（建設中）：  
**世界最大級、最新設備**  
近視など大規模生産が必要な製品供給の  
**競合優位性をさらに強固**に



生産の件です。

先ほど、たくさんの患者さんがいらっしゃるところがありまして、我々のアトロピンのソリューションは非常に力強いものだと思っております。ただ、たくさんの患者さんにきちんとお届けすることができなければ、これは価値を最大化することとは言えません。

我々は、滋賀工場、能登工場、蘇州工場、この三つの大規模生産サイトをもとに、たくさんいる患者さんに対して、きちんと製品を供給する力を持っていると思います。また、今後、近視だけではなく、このような疾患の製造数の増大に備え、我々は蘇州工場の新工場にも投資を既に始めています。

これらのことから、より低価格で、高品質で、かつたくさん供給ができる状況を我々はつくろうとしています。これは他社と比較しても、大きく差別化できるポイントと考えております。

#### 中国における近視治療患者ポテンシャル

### 生活様式の変化に伴い増加する小児近視患者に対し、治療の提供・浸透を通じ、より良い生活・子供たちの未来をサポート



近視に関しましては、皆さんも日本の中でもかなり患者さんがいるんだな、誰々さんのお子さんが近視なんだなとかというお話を聞くとありますが、中国は政府を挙げてこの取り組みをやっております。

ここで、中国の現状の近視患者さんの状況でしたり、我々のリサーチをもとにした、実際にどのくらいの方がこのアトロピンを投与したいと思っているのかというところの試算は、少しお話をできればと思います。

現在、中国では 12 億人、13 億人という人口がありますが、3 歳から 15 歳という対象人口は約 2.5 億人おります。ここに対して、現在、近視患者さんは平均して 40%ぐらいということだと、約 1 億人。その中で、既に眼鏡を含むとか、オルケソケラトロジーレンズをはじめとした近視治療患者さんは、4,000 万人ほどいらっしゃると思っています。

この患者さんたちに、アトロピンという点眼があったら使いたいですかということをご質問するようなサーベイをしたところ、約 4 分の 1 の方々が使いたいということです。こちらは、もちろん今の眼鏡をやめてとか、今の OK レンズをやめてではなく、やはり皆さん併用として考えている方、スイッチとして考えている方、いろんな方がいらっしゃいますが、か

なりの方がこういう安全でかつ効果のある製品が出たら、お子さんに使ってあげたいと思っていることが分かると思います。

この動きは、中国としましては、政府・公的機関として力強く後押しをしてくれるものですし、それとともに一般市民の患者さんたちの認知・意識の向上はかなり上がってきています。特にこれだけの近視の患者さんが既に治療している状況は、中国における小学校での大規模スクリーニングが大きく効いております。そのようなことで、いくばくかの強制力をもって患者さんが見つかる構造が、既につくられています。

また、皆さんのご家庭でも、それぞれのお子さんの状況を見て分かるかと思いますが、このコロナ禍の中で授業がリモートで、パソコンでやるようになったとか、iPadを見る、YouTubeを見る時間が増えたとか。こういうところから、やはり近見作業、いわゆる近くを見る作業が圧倒的に増えている状況にあります。

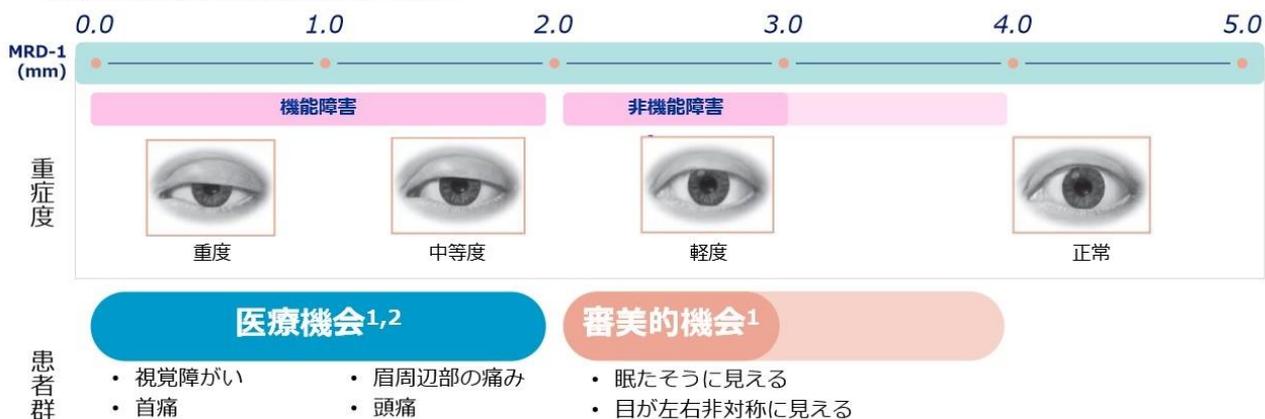
ある学習塾の調査では、学習塾の勉強の合間に何をしていますかという質問に対して、多くのお子さんがYouTubeを見ているとなっています。これは勉強も近見作業、YouTubeも近見作業でございます。ずっと近くを見続けている状況ですので、このような状況下では近視の疾患がどんどんひどくなってしまふことが、環境としてできてしまっているというところなんです。その辺りは、もしかしたら製薬会社としての我々よりも、皆さんのほうがお詳しいのではないかなと思います。

このようなかたちで、まず近視に関しては、我々は参天製薬として、130年の歴史、そして信頼感のある企業として、ここに確実に皆さんのお子さんだったり、皆さんの周りの子供、我々の将来を担う子供たちのために、意味のあるソリューションを提供できると考えております。

#### 眼瞼下垂の市場機会分類

### 手術以外に治療法がないため、視野に問題がある患者群以外は診断されておらず、軽度の患者さんは十分ケアされていない

#### 眼瞼下垂の重症度分類と患者グルーピング



1. Richards, HS, Jenkinson E, Rumsey N, et al. The psychological well-being and appearance concerns of patients presenting with ptosis. *Eye*. 2014;28(3):296-302. 2. Finsterer J. Ptosis: causes, presentation, and management. *Aesthetic Plast Surg*. 2003;27:193-204. unilateral ptosis and avoiding contralateral ptosis. *Aesthet Surg J*. 2010;30:320-328.

次に、2 疾患目、眼瞼下垂のお話をしたいと思います。

眼瞼下垂は、これもまた患者数が多い疾患だと認知を我々はしておりますが、その前提として皆さんご自身だったり、皆さんの周りの方、年長者、または皆さんのご両親のことを思い浮かべながら聞いていただければなと思います。

眼瞼下垂という言葉自体は、もしかしたらご存じなかったとか、Santen が使い始めたから初めて聞いた方もいらっしゃるかもしれません。実際、眼瞼下垂は先天性、後天的な原因によって、まぶたがしっかり開かない疾患をいいます。重症なケースから軽症のケースまで、幅広いケースが存在します。

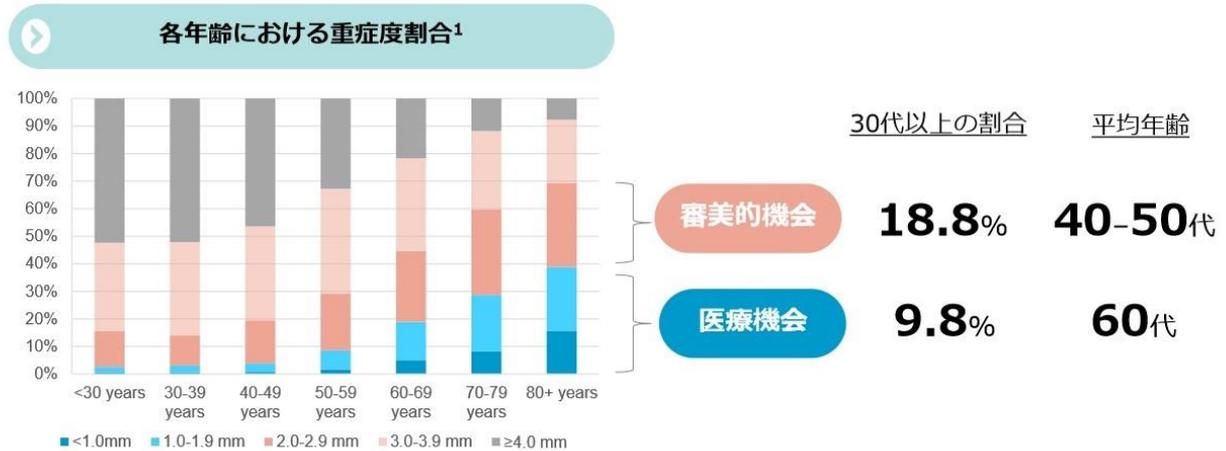
例えば、ここのスライドにあるように、重症なケースは、かなり目が隠れて、瞳が隠れてしまっているところで、重症、中等症を見ていただくと分かるんですけども、目の中心の黒いところにまぶたがかかっている状態です。この状況は既に機能障害、いわゆる視野機能障害として、視野が少し狭まってしまっている状況ですので、このぐらいに患者さんに関しては、現在の眼科でしたり、現在の形成であっても、積極的に治療に介入するために、疾患眼瞼下垂という疾患を付けている状況です。

非機能障害とある軽度のもの、少しまぶたが垂れてきているなという状況に関しては、現状のプラクティス、現状としましては診断として治療法も明確にないために、眼瞼下垂としての診断はつけていない先生方が大多数です。

こちらは、先ほどピーターの説明でありました、MRD-1 という瞳の中心からまぶたの縁までの距離が、2 ミリ以下は重度、中等度ですし、大体 2 ミリ以上になってくると、視野機能にはそんなに影響がないということで、現状あまり治療されていない、かつ疾患として診断されていない状況になります。

このような中で、機能障害があるようなところは、既に医療機会として先生方は捉えられていますが、2 ミリ以上のところはどちらかというと視野機能ではなく、見た目だったり、そういうことへの影響で審美的機会として今後、捉えられるんじゃないかと我々は考えております。

## 中重症患者は高齢者に多いが、 若年層に多い軽症患者を含めると大きな事業機会が存在する



<sup>1</sup> Paik JS, Han K, Yang SW, Park Y, Na K, Cho W, Jung SK, Kim S. Blepharoptosis among Korean adults: age-related prevalence and threshold age for evaluation. *BMC Ophthalmol.* 2020 Mar 13;20(1):99. Kim MH, Cho J, Zhao D, et al. Prevalence and associated factors of blepharoptosis in Korean adult population: the Korea National Health and Nutrition Examination Survey. *Eye (Lond).* 2017;31:940-946.

こちらは、患者数の重症度割合になります。

見ていただければ分かるように、眼瞼下垂は加齢性疾患の一つというところを考慮しますと、年齢を重ねるにつれて患者さんの比率が高まっていくことは、容易に理解いただけると思います。

一方で、軽症患者さんである審美的機会と、先ほどお話をしましたが、その対象となる患者さんたちは、より若い層にもそれなりの程度、存在していることもお分かりになると思います。

その割合は国によって違いがあるというのが、各種論文データからの状況ではありますが、おおむね 30 代以上の 20%から 30%にのぼる方々が、眼瞼下垂の患者さんとして捉えられるところかなと思っています。

この審美的機会のところでは、3 ミリを基準とするのか、4 ミリを基準にするのかは、例えば顔の大きさだったり目の大きさにもかなり依存するところもありますので、ここは国として明確な基準があったりというものが、今の時点では医療界にはないということもあります。

実際、眼瞼下垂に関しましては、両目ともがぶさっているケースは、実は全てのケースであるわけではなく、片目だけ少しまぶたが重いというケースも存在しますので、もしかしたらそういうケースのほうが、皆さんにとってはなじみやすいのかもしれないです。

STN1013800 の商業化機会

## STN1013800は医療、審美両方の患者層に対応できる即効性・安全性に優れた世界初の眼瞼下垂薬剤治療

Upneeq (米国) -STN1013800



**瞼をリフトアップ**  
視野を改善

**明確で即効性のある効果**  
5分で瞼が上がり、  
効果は6~8時間持続

**安全性**  
オキシメタゾリンは世界中で  
OTCに使用されており、よく知られた化合物

医療機会

**世界初の**  
眼瞼下垂**点眼治療薬**  
(現在の治療は手術のみ)

審美的機会

左右非対称、  
眠たそうな見た目が  
気になる患者さんへの  
**新しい価値**



眼瞼下垂の治療薬として、我々はSTN1013800を開発中ですが、これは既に米国Osmotica社によって開発が完了し、FDAの承認も取っているものです。製品名、Upneeq。アップするとユニークをくっつけた造語になりますが、Upneeqという製品名で米国では既に販売しておりまして、おそらくYouTubeなんかでも、Upneeqを使ってみたという動画は、皆さんのほうでもご確認いただけている方もいらっしゃるかと思います。

このUpneeqという製品自体は、まぶたをリフトアップすることで視野を改善するという医療的価値はもちろんですが、明確に即効性のある効果というところも非常に大きなメリットです。およそ点眼後5分でまぶたが上がり、効果は6時間から8時間継続するということで、逆にいうと6から8時間以降は何も効果が残らないかたちになります。なので、使いたいときに使えるものだと思ってください。

安全性の面ですが、オキシメタゾリンというアセットを使っています。このアセットは世界中でOTCに使われているようなもので、よく知られた安全な化合物です。そういうことから、製品の使用上の安全性に関しては、懸念が少ないとご理解いただければと思います。

その中で、医療機会と審美的機会、二つを考えておりましたが、やはり医療機会としては今現状、眼瞼下垂は外科手術での治療しかありません。その中で、世界初の眼瞼下垂点眼治療薬として、我々はこの製品をしっかりとお届けしていけると思っています。

また、現在は見過ごされている審美的機会の患者さんに関しても、これはもちろん各医師の方々の診断に基づくところはありますが、例えば左右非対称であったり、眠たそうな見た目が気になる患者さんへの、新しい価値として提供できる可能性はあるだろうと思っています。

手術に関しましても、これは手術を1回すればいいというところではなく、例えば皆さんも整形手術をする、まぶたの手術をするところイメージするとお分かりかもしれませんが、手術をするときには、なんとなく怖いというイメージがある方もいらっしゃるかもしれません。

それプラス、手術をするときには1回行けばいいわけではなく、その前にしっかりと事前診断をし、手術をし、次の日に処置を見て、そして1週間後にまた来院し、2週間後に抜糸をし、複数回、病院に行く必要もあります。この眼瞼下垂の手術の場合は、約1カ月のダウンタイムと呼ばれる、まぶたが腫れて、少し人前に出るのがはばかられるような期間もあります。

このようなものと比較すると、我々のソリューションは、もちろん効果として手術には及ばないのかもしれませんが、簡便な治療法として非常に有効なものではないかと思っております。

Santen主要地域におけるポテンシャル

## 治療薬のない疾患に対して、幅広い患者への製品普及の実現には、疾患認知・製品アクセスなど市場参入の取り組みが鍵

欧中亜日 眼瞼下垂 治療ポテンシャル患者数 試算\*1

製品価値最大化のポイント



こちらは、我々欧州、中国、アジア、日本における眼瞼下垂治療ポテンシャル患者数の試算をさせていただきます。

これまでお話をしていたように、対象患者が大体30歳以上というところから想定すると、大体18億人という少し大きな数字に見えますが、この中で眼瞼下垂患者さんは、先ほどの20%、30%の患者さんがいることを考えると、約4億人。

加えて、オキシメタゾリン、Upneeqという製品自体は、ミューラー筋という筋肉に作用することもあり、眼瞼下垂の原因によって少し効く人、効かない人がいます。50%ほどの眼瞼下垂患者さんに効くだろうと今いわれておりますので、そうすると2億人。

かつ、我々が今グローバルでやっています患者さん調査の結果によると、そのうち4分の1ぐらいはこの製品を使ってみたいと。もちろん価格の重要性もあるんですけども、というところがあります。

この5,000万人という大きな規模の患者さんに対して、しっかりとソリューションを提供していくためには、まず疾患の認知、製品の認知をしっかりと広めていく必要があります。

まず、眼瞼下垂と聞いて知らない人は非常に多いです。かつ、その中でこの製品を認知してもらうことは、やはり薬事法上のハードルもあると思います。

加えて、製品へのアクセスですが、このアクセスに関しても、こういう簡便な製品を治療として先生のところに行くことは、かなりいろんなアクションを隔てています。そこをいかに簡便にできるかは、近視も含めて、我々としてもコマースライゼーションのチャレンジかなと思います。

加えて、こういう製品の場合、非償還薬になりますので、その国々での経済性に基づいた価格受容性も見えていかないといけないと思います。

このようなものを考えると、5,000万人にどこまで近づけられるかがポイントとなってきますが、やはり我々の Santen のコマースライゼーション、商業化の力としてこのようなハードルをクリアしながら、より多くの価値を患者さんたちに届けていくことを、我々はチャレンジしていきたいと思っております。

以上です。



谷内 樹生  
代表取締役社長  
兼CEO

1. Santenの製品創製に対する考え方
2. 患者ニーズに基づいたパイプライン拡充
3. 製品開発の着実な推進による付加価値の追求
4. 事業化・商業化を通じた  
ポートフォリオバリューの向上

## 5. 総括

## Appendix

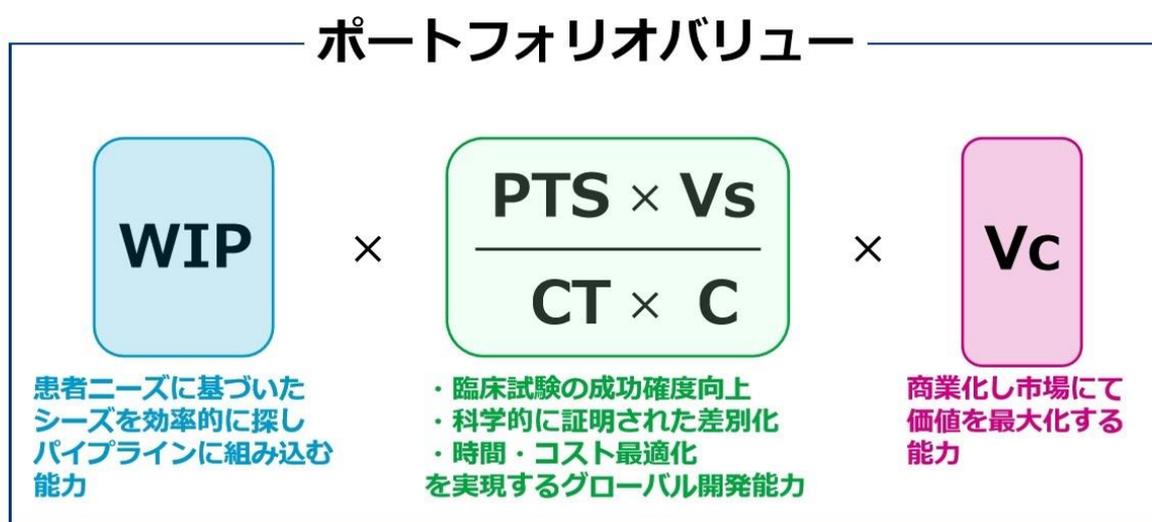
谷内：以上、本日は私ども Santen が Santen 2030 で目指している、Social Innovator への道に向けまして、製品創製に関する戦略、これがどう成長につながっていくのかをお話しさせていただきました。

本日で紹介したもの以外にも、もちろん冒頭お話ししましたとおり、緑内障ではエイベリス、タフルプロストの改良製品、それから、もちろん MicroShunt、あるいは ROCK 阻害剤の開発を順調に進めております。また、アレルギーのほうでも、アレジオンも改良新製品というものも行っております。

こういった後期のパイプラインをしっかりと出していくこと、それから今日ありましたとおり、近視あるいは眼瞼下垂、網膜色素変性症、もちろん緑内障、こういった領域での成長機会をこの中計の中で実現していくということでございます。

効率的な製品創製

## 将来の収益性向上に製品創製の面からも貢献

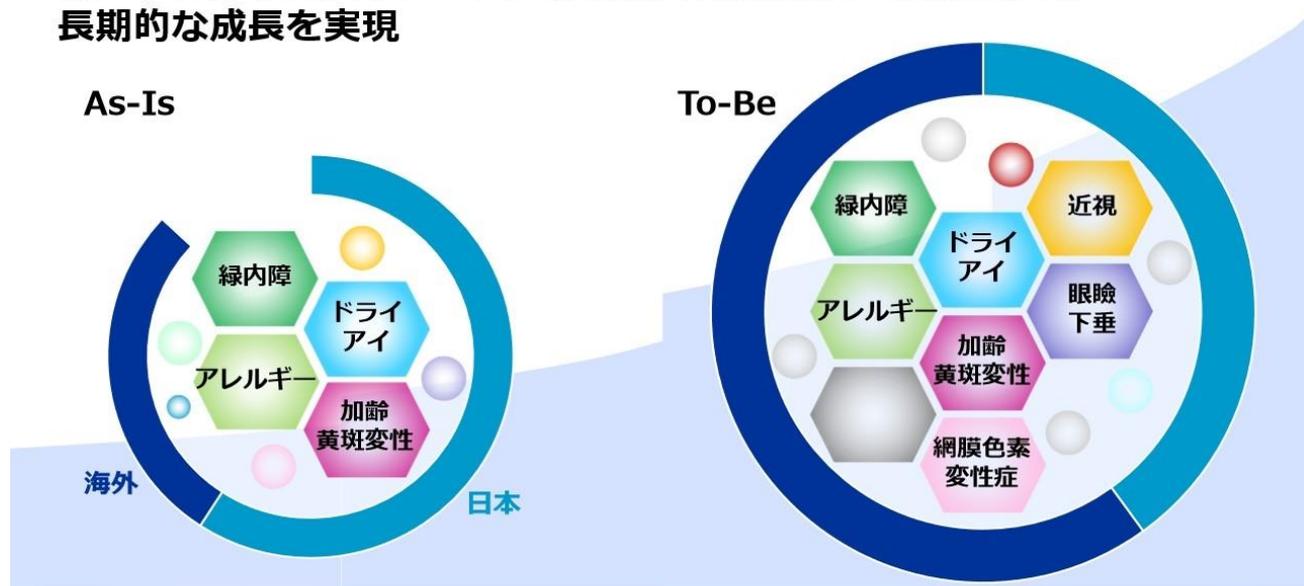


60 ページをご覧ください。

冒頭に述べたとおり、私どもはこのプロセスイノベーションとメディカルイノベーションの二つの切り口でこれを解こうとしており、その中でポートフォリオの価値を向上していくことに取り組んでおります。

特にメディカルイノベーションにつきましては、三つの能力、本日お話しさせていただいたワーク・イン・プロセスをつくり込んでいく、増やしていく、それから開発の生産性を高める、そしてコマースバリューを実現していく、高めていく。これをしっかりと磨いていって、患者さんの治療価値向上、そして成長を実現してまいりたいと考えております。

## ポートフォリオバリュー向上と展開地域の拡大・強化を通じ 長期的な成長を実現



61 ページ目でございますが、このポートフォリオバリューの向上とともに、展開地域の拡大・強化を通じまして、MTP、そして Santen 2030 の達成を目指します。

今後 5 年後、10 年後の我々のポートフォリオは、現在の姿から大きく進化していると確信しております。そして、この成長機会を取り込んでいながら、グローバルに成長していると強く信じております。

引き続き、患者さんの声、医療従事者の声を聞きながら課題解決を行い、そして長期的な成長を実現していくべく、改めて社員一同取り組んでいきたいと存じます。

引き続き、ご理解、そしてご支援をよろしくお願いいたします。

## 質疑応答

---

### Q-1-1

近視の治療薬の開発の考え方について質問させていただければと思います。

スライドの 16 ページに、失明リスクから守るという目標を掲げていらっしゃいます。これはアトロピンも含めて、失明リスクがあるほどの重度の患者さんにターゲットを絞り込んで、開発していくという考え方でしょうか。それとも、アトロピンに限ると、もう少し広い目標があるものの、御社としてアトロピンよりも重要と考えていらっしゃる、別の品目の研究開発において目指している目標を、16 ページに記載されたと理解するべきなのでしょうか。

### A-1-1

**谷内**：そうしたら、まず谷内から少しご説明させていただきます。

まず、近視のところでございますけれども、目指すゴールはアトロピンに限らず、私どもの近視という疾患に対するスタンスということで、子供の近視の進行を抑制し、将来的な強度近視とか視覚障害、あるいは失明から守るのが一番高い、崇高なといいますか、ゴールとして掲げております。それを実現していくための第一歩として、アトロピン、あるいは本日ありました STN1013400 が、小児の近視の進行抑制に位置づけられるものです。

それ以外に、まだ早期でございますが、より重症なほうに対して、本当に失明にいくような強度近視をどう抑制するかというところのプロジェクトも検討はしております。早期でございますが、まだデータ等、本日はお話ししておりませんが、そういったポートフォリオをつくっていった、最終的にはもちろん軽症の方は眼鏡をしないで生活できる、あるいは最低限の眼鏡でできる。それから強度近視、失明にいく方を極力減らしていくというところの前提で、近視のポートフォリオをつくってきたいという考えでやっております。

レザもしくはピーターから、もし追加があればお願いいたします。

**サルスティグ**：ピーターです。ありがとうございます。質問ありがとうございました。

ご存じのとおり、我々がアプローチをしようとしておりますのは、まだ早期だったりといいますが、坂井さんのプレゼンテーションにありましたけれども、臨床試験の中で対象としようとしておりますのは、まだ早期の段階である方が対象であります。

ですので、こういったような患者さんになるべく早く治療を受けることが、非常にクリティカルだと思っております。非常に急速に進行する方が多いので、データを見ていきますと、今あるデータの中で見せましたけれども、STN1012700 におきまして非常に早期である方が多い、すなわち軽度から中等度の近視の患者さんでありました。

これが最初の私たちのゴールなのですが、しかしもちろん、言われましたように、このポートフォリオ全体としてフォローアップ化合物があります。もっと強いといいますか、有効性の高いもの、そしてもっとターゲットを絞り込んだ薬剤ですね。もっと進行した疾患の状態の方、重症の方を対象としているわけであります。

しかし、我々はこういった方についても、なるべく早く早期治療がクリティカルだと申し上げたいと思います。

### Q-2-1

一つ目が、jCyte のアーリーなデータを示していただいたと思います。僕、あまりこのデータを見た記憶がないんですけども、このデータの見方についてご質問します。

最初、全体の結論での変化というんですか、BCVA の変化が 3 に対して 7.4 で、統計的有意差は人数も少ないので出ていないと思うんですけども。このデータと次の層別解析したデータがございまして、これは今後の臨床試験をするという意味では、最初の 7.4 ではちょっと効果が弱いので、次の 16.3、これは強いと思うんですが、そちらにこれを出すような層別解析をした試験をこれからやるということをおっしゃっているのでしょうか。

今後の試験のやり方と、どう層別解析しているのかについて教えてください。

### A-2-1

**サルスティグ**：ご質問ありがとうございます。おっしゃるとおりであります。

初回の患者さんのプールでありますけれども、ここで認められましたのが、この差を示すトレンドが確認できたわけですが、間違いなく改善は認められました。しかしながら、十分な改善ではないと我々は考えました。また、これらの患者さんですけれども、進行の度合いが早いということがあります。

我々としては、また別の見方、アプローチをとることができるのではないかと考えました。なんと言ったらよろしいでしょうか、より良いかたちでフェーズ 3 に進むことができるのではないかと考えました。

お伝えしましたとおり、まだ早期のステージであります。したがって、当局との相談を続ける必要がありますけれども、次のスライド、40 ページいただければ。

こちらで見ているのが、ターゲットとしている患者集団であります。三つの基準をもうけております。それでもって 16.3 というエンドポイントをもうけておりますけれども、まず対象とする目、もう片方の目におきまして、3 文字の改善。いくつかの変数を見ているわけであります。

もちろん人数を当局と検討し、そしてバリデーションしてから前に進めることとなりますけれども、当局がこの内容で合意してくれば、600 万セルの患者に関しましては、同等の反応がみれると思います。ですので、この反応を高用量の患者さんで見たいと考えております。

## Q-2-2

もう一個、老眼の治療薬のお話が少し前半であったと思うのですが、現在キャンディデートについて見つかっているようなお話にも聞こえたんですけども、今後の開発のスケジュール、前臨床、臨床入り等々のスケジュールが分かっていたら、老眼の治療薬についても一言、お願いします。これが二つ目です。

## A-2-2

**ハック**：ご質問ありがとうございます。

私の発表の中にもありましたけれども、老視に関しましては POC を間もなく開始する予定となっております。そして、そこからフェーズ 2、フェーズ 3 に移っていく予定となっております。

他社もピンホール効果については検討をされておりますけれども、我々のプログラムはピンホールではありません。水晶体、疾患の病理にフォーカスを置いております。

## Q-2-3

追加ですが、POC ということは、臨床試験はもうやっているのですか。まだこれから？

## A-2-3

**谷内**：これから開始するところです。

**ハック**：POC は間もなく開始する予定です。

**谷内**：少し谷内から補足させていただきたいと思います。

まず一つ目の遺伝子治療のところですけども、ピーターからありましたとおり、ああいうかたちのデータを再現していくということで、フェーズ 3 の準備を今、jCyte と一緒にしているところです。

こちらのタスクフォースチームというかたちで、細胞治療に特化するチームを立ち上げて今やっておるところでございます。10 月から、ちなみに直近まで Novartis で、同じ網膜色素変性症のラクスターナのグローバルヘッドしていた方に Santen に入っていただきまして、この全体のプロジェクトを今後推進していく体制に今、移行してきておりますので、今後より具体的に、こちらの開発、商業化、生産、製品供給を含めてピッチを上げてやっていきたいということでございます。

また、老視のところも今、レザからありましたけれども、まだ具体的にいつ、どういうかたちでというのは今後詳細が決まり次第、当局相談等を経てからでございますが、臨床試験もなるべく早く移行するように今、社内で議論しておりますので、また次のニュースをお待ちいただければと思っております。私どもはちょっとユニークなアプローチをしておりますので、楽しみでございます。

### Q-3-1

私から一つ目、近視治療剤の STN1012700 についてお伺いしたいです。

こちらの中国での展開につきまして、おそらく臨床試験では他社さんのほうが少し先行しているところもあるのかなと思いますけれども、仮に他社が先行した場合でも品質とか販売、生産など、本日ご紹介いただきましたが、そういうところで競争優位を構築できるのかどうかというところの考え方についてご説明いただけますでしょうか。

### A-3-1

**森島**：では、森島からご説明させていただきます。

確かに、先行会社 1 社、我々よりも早く治験に入っている会社がございます。また、ほかの会社も IND 申請している会社もたくさんございますので、競争環境としては厳しくなっているのは現実でございます。

ただ、私どもはグローバルでいろんなデータを収集していく過程で、単に治療薬を提供するだけではなくて、どういう治療方法が適切であるかということを含めて、データを多面的に取っていけることが、開発面からの一つの強みだと思っております。

また、中国 10 億人、先ほど坂井から説明がありましたように、たくさんの患者さんがいらっやあって、これは各社さんとも防腐剤の入っていないユニットドーズで開発されていて、そういう供給面で安定して供給できるのは Santen のみだと考えております。

承認直後は輸入品を計画しておりますけれども、蘇州工場の拡大に伴って、中国で生産して中国で供給できる。しかも、その供給能力が他社に窮しないスケールであることを考えると、薬剤そのもの単独ではなくて、治療方法、さらには安定供給、情報提供という面で、中国で競争していけると考えております。

以上でございます。

**谷内**：近視のところは先ほど坂井からも少しありましたけれども、やはりエコシステムをつくっていかないといかんというところですか。マーケットがあって、ものを出せばいいというものじゃなくて、マーケット自身をどうつくっていくか。先生方とか学校とか親御さんはもちろん、お子さんをどう巻き込んでいくか。あと、アトロピンを差せばいいだけでなく、やはり外に出たり、いろいろと目の健康に気を配ったりと、総合的なことを多分やっていく必要があると思っております。

そうすると、学会としっかりタイアップして、いろんなエデュケーションを展開していく力とか、それを各地域で細かくやっていく。こういったところは私どもの得意技でございますし、それをできるキャパシティを中国でもうつくり上げておりますので、そういったところも含めて総合的に差別化していくことができると考えております。

現地企業が多分できることは、我々とだいぶ違うのかなと思っております。そこの強みをしっかり出して、製品の差別化、品質面含めた、これプラス、やはり活動全体での差別化で近視をやっていきたいと考えております。

### Q-3-2

2点目が、先ほどのjCellについてお伺いしたいです。先ほど出していただいたデータで、12カ月のところまでは非常に安定的に効果が見えているのかなとも見られるのですが、この12カ月以降の長期の有効性をどのようにご想定かというのをご紹介いただければと思います。

併せて、こちらは、例えば2回目を投与することは可能なのかも教えていただけますでしょうか。

### A-3-2

**サルスティグ**：ピーターが答えます。質問ありがとうございました。

このデータのデザインであります、12カ月のデータを今現在では示しております。

ロングターム延長ということも今、考えております。さらに、追加の投与も今、考えております。見ております。それもプログラムの一環ですけども、それは残念なことに今現在進行中でありまして、今示すことはできませんというのがアンサーです。

### Q-4-1

米国のところで2点、簡単に伺いたいです。

エイベリスのPDUFAがだいぶ近づいてきましたけれども、何かアップデートがございますでしょうか。これまで御社が米国で申請したプログラムを見ますと、審査が順調と伺っていて、残念ながらCRLがきたというケースが複数あったかと思えます。

当局とのやり取りに関しては、新体制になって以前より改善しているのかということも含めて、ご教示いただけたらと思います。

### A-4-1

**サルスティグ**：ピーターです。ご質問いただきまして、ありがとうございます。

PDUFAの期日ですけども、11月19日となっております。その観点からしまして、あと1カ月半程度になります。

おっしゃるとおり、これまで多く行ってきました、過去からですね。積極的なアプローチを当局とっております。ですので、事前に彼らのところに行き、三つのピボタル試験について話をまいりました。スペクトラム4、そして3について

もそうです。データが十分に包括的であるかどうかの確認を行いました。このディスカッションの中で考慮されたのが、十分であろうということでした。申請をしていいということでありました。

お伝えしましたとおり、あとフィニッシュラインまで、ゴールまで 1 カ月半ということで、これまで当局とは非常に良好なインタラクションを図ることができております。タイムリーなかたちで協議をし、そして評価事項に対して対応してきました。

ただ、これが 100%保証するのかというと、必ずしもそうではないと思います。FDA との良好なパートナーシップでポジティブな結果が得られることを期待しております。ただ、今現時点では PDUFA の 19 日ということは 100%は保証できませんけれども、現状そのようなかたちとなっております。

#### **Q-4-2**

よく分かりました。ありがとうございます。

あと、もう一点、STN1012600 についてです。フェーズ 2 を前倒しで実施とおっしゃっていたと思うんですけど、聞き逃していたらすみません。具体的にはどのようなことをおっしゃっていたのか。これは患者の組み入れがご想定よりも早かったということなのか、そこら辺を教えてください。

#### **A-4-2**

**サルスティグ**：ピーターです。二つ目のご質問ありがとうございます。

これまで我々がフォーカスしてきましたのが、過去からの学習、学びということで STN1011700 がありました。STN1011700 の経験に基づいて、そして新しいチームが結成されましたので、また眼科のバックグラウンドを持った人間が Novartis、そして Alcon から加わりました。また、異なるケイパビリティを持った人材、CRO をよく分かっているメンバー等がそろっております。

そういったことから、STN1012600 の被験者のリクルートメントを加速することができました。非常に前向きに捉えております。もちろんデータを待つ必要はありますけれども、間違いなくこのデータに関してはポジティブに考えております。

**谷内**：谷内から補足というか、追加でお話しさせていただきたいんですけども、ご心配いただいておりますとおり、開発、特にアメリカの開発は過去 10 年間振り返って、やはりうまくいっていなかったことは、もちろん私自身も強く認識しておりますし、この 2~3 年間、そこに取り組んできたところでございます。

これはピーター含めて、先ほどありましたとおり、現地でしっかりできる体制をつくって、あるいは、いろいろとプロセスの改善、人の変更、CRO 等のやり方のいろんなアップデートも、打てる手はしっかり打ったと。やり尽くしたかどうかという、まだできることはあるかもしれませんが、そこを一つ一つ潰しながら改善している段階でございます。

STN1011700 はその前から治験しておりましたので、そういう意味でいくと、私どもとしても全部納得いっているわけじゃなくて、でもその中でしっかりとそこを最後修正して、申請に持っていったというところがあります。また、STN1012600 は新しい体制で始めたので、しっかりと臨床試験も回っている状況です。

また、Verkazia の承認もしっかり持ってきたところで、改善はしてきているのかなと手応えは感じながらも、一方でこればかりは最後は結果がどうかというところは分かりません。当然いろんなシナリオを考えておりますけれども、本当に人事を尽くして天命を待つかたちで今やっておるところでございますので、ぜひ、私どもとしては期待しておりますし、また引き続き能力強化、実行能力をまた経営としてもしっかりとアテンションしていきたいと考えております。

ありがとうございました。

### Q-5-1

まず 1 点目が、眼瞼下垂の商業化についてです。スライド 58 で非償還薬の価格受容性とかという説明もございましたが、結局、眼瞼下垂は医療的な機会と美的、コスメティックな機会とがあると思うのですが、OTC みたいなかたちで商業化していくみたいなのがメインシナリオになるのでしょうか。

もし仮にそういった OTC での展開となった場合、日本では御社だけで可能かもしれないですけれども、アジアや欧州で御社だけで展開していくのは可能なのでしょうか。よろしくお願いします。

### A-5-1

**坂井：** ありがとうございます。坂井から説明させていただきたいと思います。

まず、この製品自体を OTC ですぐさま売っていくことは考えておりません。というのは、この製品自体、FDA に Rx 治療薬として承認されておりますので、眼瞼下垂の適応のものを OTC 化をすぐしますということは難しい状況です。これは薬事的な面です。おそらく Rx 薬でしっかりと販売を続けて、複数年のデータ蓄積を経た上で OTC 化がシナリオかなと思っております。

加えて、アジアだけで展開をというところですが、OTC 化がすぐさまは難しいというところでも、実際、眼科の先生方だけではないところで、もしかしたら売らないといけないところを考えますと、Santen の中でも新しいチャレンジになってきますし、その場合に別の会社との、そういうケイパビリティを持っている会社とのコラボレーションは考えていかないといけないかなと思っております。

### Q-5-2

そうすると、Rx での販売ということなので、まずは医療的な機会、医療的なビジネス機会を中心にやっていって、中長期的にコスメティックの部分も訴求していくみたいなイメージになるのでしょうか。

## A-5-2

**坂井**：お答えするとしますと、Rxとしても両面訴求できるかなと思っています。少し書き方として医療的機会という書き方をしてしまいましたが、イコール、これは審美的なものは医療ではないので、Rxとして提供できないということではないと思っています。

それはお話ししたように、各先生方のご判断になりますが、実際まぶたが下がってしまって気になっている方はかなりの数存在し、そこに対してやはり先生方が治療として値するとご判断いただければ、それはRx治療薬として提供することはやぶさかではないと思います。実際、今、Osmotica社が行っているUSプラクティスでは、そこまでカバーしている状況になります。

**谷内**：これは、とりあえずRxとしての開発ということと、保険償還、薬価は分けて考えていただいたほうがいいのかと思いますし、我々も分けて考えています。まずはRxをしっかり承認を取ること。一方で、これをどう薬価、保険償還、あるいは自由薬価でやっていくのか、これは多分、国ごとによって変わってくるので、そこは分けながらしっかり整理してやっていきたい。そうご理解いただければと思っています。

## Q-5-3

二つ目が近視の部分のデータですけれども、M2が、散瞳リスクが低いのはよく分かったのですが、有効性の面はM2だけに選択性を高くすることによって、M1だったりM3などに比べて有効性の差はないという理解でよろしいでしょうか。

## A-5-3

**森島**：前臨床の段階ですけれども、散瞳を起因せず治療ができるという意味では、より強い効果があるのではないかと。臨床上、薬剤としては、当然アトロピンも濃度を上げれば効果があることは分かっているんですけれども、散瞳のことがあるので治療領域としては狭くなっています。

一方で、このM2に選択的な薬剤を使うことによって、散瞳を起因せず高用量まで適用できるという意味では、臨床上はより高い効果が期待できるのではないかと考えております。

## Q-6-1

一つだけ、アトロピンについてお聞きます。一つで二つの質問かもしれません。

31ページのPOCは出たということですね。このフォローアップ期間後のデータは、どこかで既に開示されているのでしょうか。

いわゆる、投与期間終了後の増悪といいますか、症状がやっばり戻ってきてしまう、さらに以前よりも視力が落ちるケースが報告されていると思うんですけども、そうするとこの薬の使い方はいくつか考えられて、まずはドーズセッティングと投与期間をどう考えるのか。それから、どのぐらいの期間投与可能なのかもポイントになってくるかと思うのですが、この辺の、これは中国をターゲットにしておやりになっているのは分かるのですが、今後の開発の考え方をまず教えてください。

#### A-6-1

**森島**：森島からご説明させていただきます。

休薬期間後に近視が進むというのは、いろんなデータで公表されていますので、それは事実として存在します。

ただ、いずれの治験も2年以下の投与期間で終了して、その後のフォローアップということなんですけれども、実際の臨床の場では、眼球の成長のタイミング、どこまで投与すべきかが、実は治療、治験の中ではなかなかクリアになっていないことが事実でございます。

なので、先ほど私どもも申し上げましたように、これから上市の後も含めて、どのような治療をしていくのが適切な近視治療であるかということの研究は続くと思っています。基本的には、眼球の全体の成長が終了するまで治療を続けていただいて、リバウンドのないような状況をつくるのが理想的な治療だと考えています。

今のところ、それほど長期で投与された例がないものですから、これは臨床試験とは別に上市后、継続してデータ収集していく分野であろうと思っていますが、そこに、我々はリバウンドに対する対処法の道があると思っていますし、そこが参天製薬の強みだと考えております。

#### Q-6-2

承認を取得するためには、リバウンドなり休薬後のデータが必要されないという理解でよろしいのですか。

#### A-6-2

**森島**：いえいえ、ガイドライン上は、行政上の要請は治療期間2年、それ以上の期間と、さらには休薬期間を含めて申請データにしなきゃいけないと、行政からは要望されていますので、それはきっちりデータを出して、検証していくことになると思います。

#### Q-6-3

分かりました。ありがとうございます。

あともう1点だけ。アトロピンという成分ですけども、これは知的財産はどうなるのですか。御社がこれを製品化した場合のデータ保護期間、特に中国の場合には一体どうなるんだろうなと思ってしまっているのですが、その辺のお考えをお聞かせください。

### A-6-3

**森島**：薬剤そのものは古い薬剤ですので、物質特許はございません。各社から処方特許が出ている状況ですし、参天製薬も処方特許を出していきますので、全く同じ処方そのものは出てこないと思っておりますが、知的財産という意味では、容易な状況ではないと考えています。

むしろ、ものとしての独占性というよりも治療サポートとして、支援とか情報提供というところで、参天製薬の製品を使っていただけるような環境をつくり込むことが、我々のビジネスの目標になるかと思っております。

### Q-6-4

そうすると、期間はないということよろしいのですか、データ保護期間を含めて。処方での特許というんですか、これは。取られたとしてもですが。

### A-6-4

**森島**：特許上の保護期間は、他社が参入できる状況ではないんですけれども、薬事的なデータ保護については各地域でございます。ただ、中国については、今、特許法が出たばかりでまだ落ち着いていない状況で、どれだけのデータ保護期間がこの薬剤で得られるか明確にはなっていないんですけれども、薬事的なデータ保護期間は得られるのではないかと期待しております。

### Q-7-1

アーリーのプロジェクトの評価についてですが、ROI であったり、従前に比べてコストとかの関係性でよりシビアに見ているのか。M&A であったり、提携に対しての ROI もしかり、より管理されているのか。この点について、実際に業務に携わっている方からコメントをいただきたいと思えます。

といいますのは、一時期、無形固定資産が非常に大きく膨らんだ時期があって、ROI がどうなっているかという管理のところ若干、疑問を持っているので質問させていただきました。以上です。

### A-7-1

**谷内**：当然、アーリーなところ、これは後期もそうですけれども、R&D 費用、それからバランスシートへの影響を見ながら開発の意思決定、あるいは提携等を行っていますし、ご心配いただいておりますとおり、過去、そこは少し、結果的に悪い出方をした MicroShunt 等という話は十分、私たちも認識しております。

次期中計でも、そこは以前よりもさらに慎重に行う。具体的には、ハードルレート、それから ROE への影響、あるいは案件ごとの回収期間、リスクシナリオ等を従前よりもより緻密に議論して行うというふうに行っております。

坂井から、その全体のファシリテーションは坂井で行っておりますので、追加があればお願いします。

**坂井**：アーリーのフェーズに関しましては、もちろん無形資産の影響は経理上というか財務上、見ておりますが、どちらかというと弊社の場合、M&A で取ってくるものとか、他社のコンパウンドの部分もありますので、ほかの会社と同じような感じで一概には評価できないところもあります。

一方で、逆にだからこそ、より常に抱え持っているような財産があるわけじゃない中で、ピンポイントで取っていくようなかたちをしていますので、その目利きをレザのチームが力強くやっていただいて、そのエグゼキューションとしてレザのチームでリサーチをやり、グローバル BD のチームでとっていくということで構築しているかたちになります。

もし実務サイドということで、レザから追加がありましたらお願いいたします。

**ハック**：先ほど言いましたように、たくさんのコアビジネス、そしてフロンティア、両方たくさんやっております。現在、それを全部話すわけにはいかないですが、全てのビジネス、事業採算性を見ております。そして、BD グループと非常に連携としてギャップを見つけ出し、グローバルアライアンスグループとも連携をしまして、さらなるインディケーションがないかということを探しております。

そして、全ての患者さんのアンメットニーズを満たすための活動であることを、いつも言明しているとおりであります。ありがとうございます。

#### **Q-7-2**

坂井さんに確認ですが、そうしたら、しっかりバジェット等々も勘案しながら、より厳格に管理されているという理解でよろしいですね。

**坂井**：はい。そのように管理しております。