

STN1011700 米国での承認申請に対する 審査完了通知受領について

参天製薬株式会社
2021年11月18日

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.



鈴木： 皆様、こんにちは。

企画本部長の鈴木で御座います。本日はご多用の中、本電話会議にご参加頂きまして、誠に有難う御座います。

先日、11月9日に実施しました第2四半期の決算説明会の場で117に関してお話をさせて頂きましたが、その翌日に当局より審査完了通知を受領いたしました。その後、内容の詳細確認と今後の見通しについて皆様にお伝えできるよう、緊急で準備を進めてまいりました。本日15時のリリースでお伝えしております通り、委託製造先である第三者が関わる問題であり、その確認に時間を要している関係で、若干の日数が経過しておりますが、なにとぞご理解お願いいたします。

リリースで開示させて頂きましたとおり、今回はPDUFAのタイミングの問題もあり、審査完了通知をいったん受けとっておりますが、通知の中で明確にされたGMP上の課題についてはほぼ特定もできております。

登壇者



谷内 樹生
代表取締役社長
兼CEO



木村 章男
常務執行役員
グローバル
プロダクトサプライ担当



森島 健司
執行役員
製品開発本部
中国製品開発統括部長



鈴木 聡
常務執行役員
企画本部長



ピーター サルスティグ
MD, MBA
執行役員
製品開発本部長

鈴木： 次ページをお願いします。本日こちらの参加メンバーとなります。

次 2 ページが注意事項、3 ページが参天の企業理念である「天機に参与する」のスライドとなります。

それでは、4 ページから、森島と木村より内容についてご説明をさせていただきます。

重要な注意事項

- 本発表において提供される資料ならびに情報は、いわゆる「見通し情報」(forward-looking statements)を含みます。本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいています。これら見通しを実現できるかどうかは様々なリスクや不確実性などに左右されます。従って、実際の業績はこれらの見通しと大きく異なる結果となりうることをご承知おき下さい。また、当社は本資料の内容を随時更新する義務を負うものではありません。
- リスク要因としては、以下のものが含まれますが、これらに限定されるものではありません。
医薬品行政の動向、社会・経済情勢ならびに法規制の変更、為替などの外部要因。後発品の影響などの競争環境の変化。主力製品への依存、ライセンス製品への依存、原薬供給等の特定の取引先への依存などの特定の製品・取引先等への依存。新薬開発の不確実性、研究開発投資が十分な成果を生まない可能性、他社との提携の成否などの研究開発活動に起因するもの。その他知的財産権、自然災害などに伴う生産の停滞・遅延、販売中止・製品回収等の製品供給に起因するもの、訴訟およびグローバルな事業展開に関わるリスクなど。
- 本資料には、医薬品（開発品を含む）に関する情報が含まれていますが、これらは宣伝広告や医学的アドバイスを目的としているものではありません。
- 本資料は投資家の参考になる情報の開示を目的としており、投資の投資勧誘や推奨を行うものではありません。投資に関するご決定は皆さま自身のご判断で行うようお願いいたします。
- 本資料に記載された情報は今後予告なく変更されることがあります。本資料の利用にあたっては利用者の責任であり、記載された情報の誤り等を含み本資料の利用によって生じた損害について、当社は一切責任を負うものではありません。

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。

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

3 

審査完了報告通知（Complete Response Letter、CRL）受領に至る経緯

2021年11月に入り、承認に向けた課題を認識

日本時間

- 2021/10/20： 申請内容に関するFDAからの最終確認に対して、
規定に則りミーティングをリクエスト
- 2021/11/2： FDAとミーティング
**製造委託施設のGMP non-compliance（FDA
査察での指摘が未解決）が承認を妨げている
との見解が伝えられた（具体的施設・内容は示されず）**
- 2021/11/10： CRL受領

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

4 

森島： 森島より、審査完了通知での指摘事項を中心に説明させていただきます。

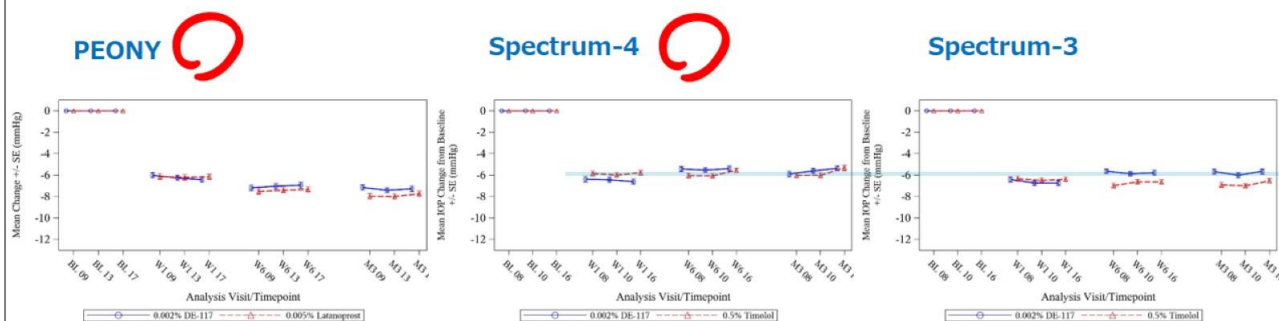
4 ページをご覧ください。

昨年 11 月の申請以降、通常通り FDA とコミュニケーションをしていました。今年 11 月 2 日に持った FDA とのミーティングで、承認に向けて製造委託先の GMP 課題が承認を妨げているとの見解が伝えられました。この時点では具体的な内容は示されなかったものの、今回受領した審査完了通知で明らかになった点についてお話しさせていただきます。

2020年11月の米国申請におけるピボタル試験

3本の第三相臨床試験を含め米国申請。

うち、2本は統計学的非劣性を証明しFDA承認要件を満たした



追加のピボタル試験は不要

2021年度第1四半期決算説明会資料より再掲

Copyright© 2021 Santen All rights reserved.

5 **Santen**

森島： 5 ページでは、以前にもご紹介させていただいた米国申請におけるピボタル試験の結果を掲載しています。既に、ご報告していますように、米国で実施した2つのピボタル試験のうち1つの試験で非劣性が証明できなかったことが、承認に向けての最大の課題と認識しておりました。アジアで実施したピボタル試験を含めた全ての臨床試験のデータを提出し、本製品が再現性のある臨床効果を示すことを主張しておりました。当社の主張については、FDAにより受け入れられたと認識しており、最も大きなマイルストーンは達成されたものと考えております。審査完了通知では、承認に向けた追加ピボタル臨床試験のデータ提出の要求はありませんでした。

迅速な再申請に向けGMP課題の解決が必須

- **必須要件：製造委託施設が他社製品の査察で指摘された事項（GMP non-compliance）への対応を完了すること**
（一般的項目の指摘事項がSTN1011700の審査に影響）
- その他いくつかの事項も含め、再申請に向けてFDAとコミュニケーションを継続

FDA、製造委託先と連携し、最速での再申請を目指す

森島：6ページです。一方で、承認に向けての必須事項として、製造委託を予定している施設においてGMP上の問題が指摘されています。こちらはSTN1011700の製造設備及び製造プロセスそのものに直接起因するものではなく、他社の製品に関わる査察で指摘された、製造一般に関する項目に未解決事項があるとのこと。

その他の確認すべき要件もございますが、承認前要件ではないとの認識であり、再申請に向けてFDAとコミュニケーションを継続しながら、製造委託先とも連携し早期の再申請を目指してまいります。

2022年2月決算説明会で対応状況についてアップデート予定

FDAからの情報共有以降、製造委託先と以下の項目について協議継続

- ✓ 指摘事項への対応
- ✓ 査察の有無
- ✓ 査察の時期

木村： 木村より、今後の製造上の課題対応についてご説明します。スライド7です。

森島からもありました通り、製造委託先がFDAの指摘事項に対応することが、STN1011700承認取得の必須事項となります。本対応は製造委託先が主体となって実施すべきものであり、Santenが直接コントロールできないものではありませんが、委託先と可能な範囲で連携していくこととなります。

FDAからの情報提供以降、委託先とは継続的に協議を実施していますが、再申請のスケジュールに影響する内容は、①委託先のFDA査察における指摘事項への対応状況、②FDAによる委託先への査察の有無、③およびその時期、の3点であると認識しております。

委託先とも継続的にコミュニケーションを図り進捗を確認してまいりますので、2022年2月に実施予定の第3四半期決算説明会の中でアップデートさせていただく予定です。

Takeaway

Santenのアクション

- 速やかな再申請に向けて、FDAとのコミュニケーションを継続
(GMP non-complianceの解決により承認を確実なものとするため、製造委託施設での対応状況についてFDAとコミュニケーションを継続)

MTP2025への影響

- MTP2025の戦略・取り組みに変更無し
- 既存製品（Eyevance製品、Verkaziaなど）の価値最大化により、米国事業への影響を最小化

谷内： 皆様、ご清聴ありがとうございます。最後に谷内より、コメントさせていただきます。

ご説明のとおり、製品そのものについて承認取得前に解決すべき指摘はないことから、私どもとしては、今回の通知により「光」が見えたと認識しております。まずはオペレーション上の課題解決を目指して全力で取り組んでまいります。今回、自社の製品とは異なるものの査察で、委託先のGMP課題が出てきたという点では、当社としては想定外ではございました。また、これにより患者さんに製品をお届けすることが遅延してしまったことも大変残念ではあります。引き続き、委託先とともに早期の事態の解決に最大限の努力を行い、一日も早く製品をお届けしたいと存じます。

また、先日もご説明させていただきましたが、MTP2025の達成に向けて、私どもは、米国事業の基盤を強化し、黒字化を目指して取り組んでおります。本製品は米国事業の今後の成長にとって重要な要素

です。

承認の遅れは想定されるものの、現段階では全社的視点で見れば、中期計画に影響を及ぼすようなものではないと認識しております。引き続き、米国事業の成長と黒字化、そして中期計画の達成に向けて取り組んでまいりたいと思います。ぜひご支援のほど、よろしくお願いいたします。

以上