

## 米国事業

3つのステップを  
着実に実行することで  
世界最大の医薬品市場  
において持続的な成長を  
めざします。



常務執行役員  
米国事業統括  
グローバルビジネス  
ディベロップメント統括 兼  
ミツビシ タナベ ファーマ  
ホールディングス  
アメリカ社長

田中 栄治

### 基本方針

世界最大、かつ単一の医薬品市場である米国での事業拡大は、当社の「中期経営計画16-20」および長期的な成長の達成にとって、非常に大きな役割を担うものであると考えています。

当社では米国事業の持続的な成長に向けたロードマップを、3つのステップに分けて考えています。第1のステップは、ALS治療薬ラジカヴァの発売により「米国事業の第一歩」を踏み出すことです。次の第2ステップでは、積極的な戦略投資により「米国事業の拡大」に注力します。そして、第3ステップでは、第2ステップまでの取り組みを通じて構築した事業基盤のもとで、自社品を中心とした「米国事業の継続成長」を図っていきます。

これまでの本中計期間において、2017年8月のラジカヴァ発売によって第1ステップを実行しました。さらに2017年10月には、戦略投資約1,240億円(約11億米ドル)を活用してニューロダームを買収、完全子会社化することで第2ステップを実行しています。

2021年度には、植物由来VLPワクチンMT-2271とラジカヴァ経口剤 MT-1186を、2022年度にはパーキンソン病治療剤ND0612を市場投入する予定です。これら3つを成長ドライバーとし、事業の飛躍的な成長をめざします。これにより、米国市場における当社グループのプレゼンスを高め、現在開発中の自社品を中心に第3ステップでめざす「継続成長」を確かなものとし、米国事業を国内事業に次ぐ第2の柱へと育成していきます。



## 米国事業の全体像

米国での販売・マーケティング機能を担うミツビシ タナベ ファーマ アメリカ (MTPA) では、米国事業における第1ステップとして、2017年8月にラジカヴァの販売を開始しました。MTPAでは2021年度に市場投入を予定しているラジカヴァ経口剤の販売開始に良い形でつながるように、治療環境の改善やバイオマーカー試験による新たなデータの取得などの活動も継続しており、これらによってラジカヴァの売上の最大化をめざしています。さらに

MTPAでは、第2ステップ「米国事業の拡大」に関しても、メディカゴ(カナダ)が開発中の植物由来VLPワクチンの販売準備を進めています。ニューロダームが開発中のパーキンソン病治療剤ND0612については、研究開発を推進中です。

また、当社グループにおいてグローバル開発の中心的な役割を担うミツビシ タナベ ファーマ ディベロップメント アメリカ (MTDA) では、ラジカヴァ経口剤の開発に加えて、第3ステップ「米国事業の継続成長」のための自社品の開発も進めています。これまでの取り組みによ



### グローバルな医薬品開発を成功させるために

ミツビシ タナベ  
ファーマ ディベロップメント アメリカ (MTDA)

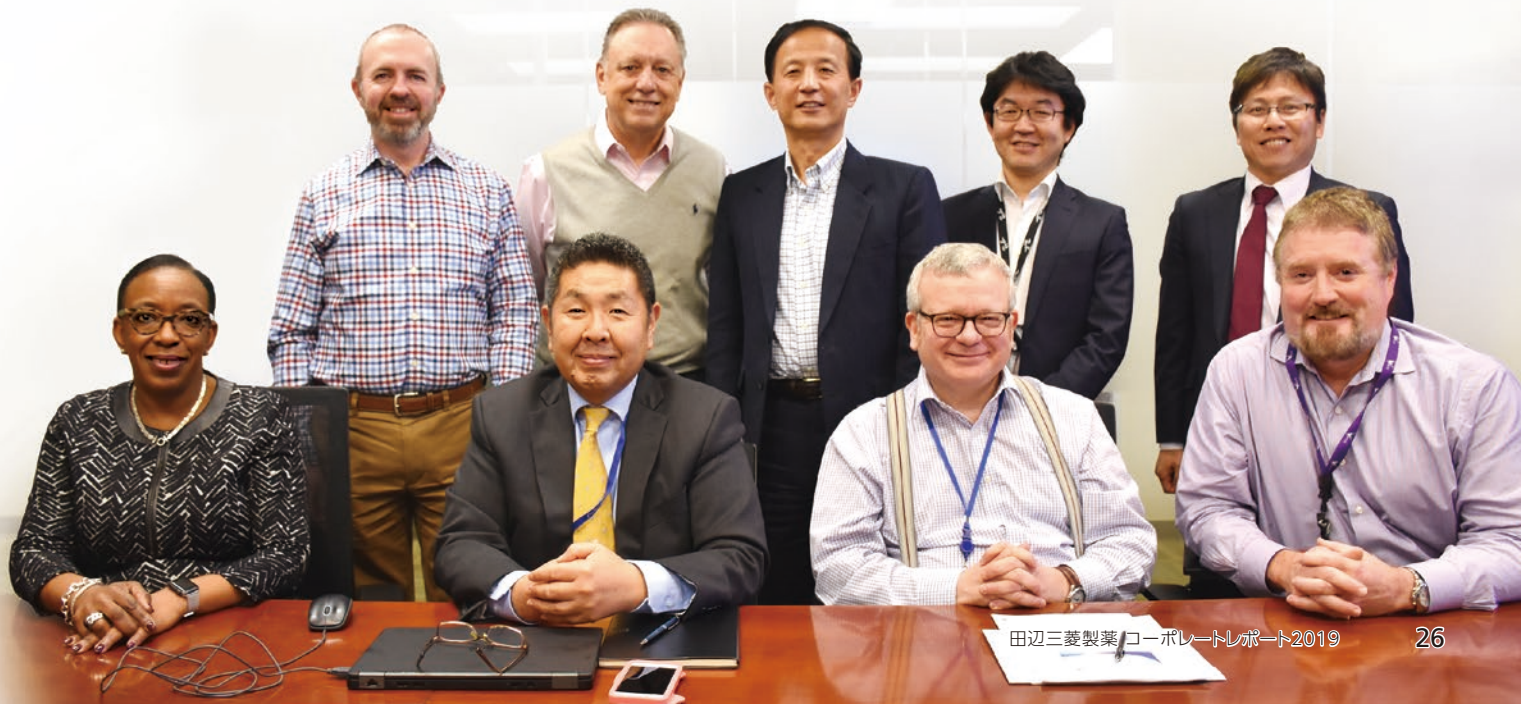
MTDA 社長  
九鬼 秀紀

米国で2017年8月から販売が開始されたラジカヴァは、順調に市場に浸透しています。MTDAではラジカヴァのビジネスを成功につなげるべく、承認取得後も承認内容の一部変更申請や、安全性情報管理、さらに米国外における販売承認の取得や経口剤MT-1186の臨床開発などの取り組みを推進しています。

一方、「中期経営計画16-20」の“4つの挑戦”のひとつ「パイプライン価値最大化」を果たすべく、ラジカヴァに続くグローバルな新規医薬品の開発を成功させることもMTDAに課せられた重要ミッションです。現在、グローバルに開発

を進めていくためにMTPCグループの各社から構成される横断的な開発プロジェクトチームを組織し、各社の機能部門、関連部署と綿密に連携して開発作業を計画・実行しています。

MTDAでは開発計画や薬事戦略の立案・マネジメント、安全性リスクアセスメントを中核業務と位置付ける一方、臨床試験実施の多くの部分をアウトソーシングすることで、効率的かつ効果的な開発体制の構築にも取り組んでいます。昨今の新薬開発では規制当局や医療現場からの要求ハードルが高くなる一方で、医療経済的なアプローチも不可欠となっています。開発の成功確度を高め、医療・経済ニーズを的確に取り込んでいくために、米欧日の多様な分野の専門家とのネットワーク構築もMTDAの重要な役割です。社内外の叡智を集約し、早期開発ステージにある開発プロジェクトのPoC達成と後期開発の着実な推進、そして新薬販売承認の取得をめざして、今後も努力を重ねていきます。



## 米国事業

グローバル展開の可能性を持ったプロジェクトも複数誕生しており、将来の当社グループの成長に向けたパイプライン強化の取り組みが、一定の成果を上げつつあるととらえています。

米国市場は今後も継続して世界最大の市場であり続けると予想され、同市場での事業拡大は当社グループの持続的成長にとって不可欠の条件であると考えています。

### 3つのステップの進捗

ステップ1に関しては、先述の通りラジカヴァ発売により、米国事業が順調に立ち上がっており、今後は経口剤の市場投入をはじめとした、更なる施策を実行していくことで売上の最大化をめざします。

ステップ2に関しては、メディカゴがインフルエンザVLPワクチンの米国での2021年度承認取得をめざして取り組みを進める一方、ニューロゲームもパーキンソン病治療剤ND0612を2022年度に発売すべく研究開発を推進中です。

ステップ3については、2021年度以降も持続的に成長し続けるための施策の実行や体制の構築が最重要課題であると認識しています。そのためには、研究開発投資の選択と集中を図る必要があり、自社で開発する品目を早期に見極めることが求められます。

ミツビシ タナベ ファーマ ホールディングス アメリカ (MTHA) では、患者さんや医療関係者から求められている

ニーズを的確にとらえるためのマーケットアナリシスを実施しています。さらに、新薬を必要とされる患者さんすべてがアクセスできるよう、保険者の関心に沿った説得力のあるエビデンスを構築するためのマーケットアクセス戦略立案を通じて、マーケット面から開発戦略立案に貢献すべく活動しています。

これらの活動により、市場ニーズに合致した製品の創出と販売戦略の立案をシームレスにつなぎ、自社品の開発加速化を含むパイプラインの価値最大化をめざしていきます。またMTHAでは、米国関連会社のガバナンス強化やコンプライアンスの徹底など持続的成長に不可欠な経営基盤の強化にも取り組んでいます。

### 成長ドライバー

#### ① ラジカヴァ

MTPAでは、ラジカヴァの上市以降、主なステークホルダーである患者さん、医師、保険業者（ペイヤー）に対し、ALSや製品についての教育機会の提供や、投薬サイト拡充などラジカヴァ治療環境の改善に取り組んでいます。これらの結果、2019年6月現在、延べ約4,000人以上のALS患者さんにラジカヴァが提供されています。

今後もこうした活動を継続し、ラジカヴァに対する医師の認知度を高めることで適正使用を促進していくとともに、投与しやすい環境を提供し、ラジカヴァへの患者さんのアクセシビリティを高め、2021年度のラジカヴァ経口剤発売に良い形でつながるよう、ALS治療環境の改善を



#### ALSの バイオマーカー研究

ミツビシ タナベ ファーマ アメリカ (MTPA)

Senior Medical Director  
Stephen L. Apple, MD

バイオマーカーは、治療や病気の進行に応じて変化し、指標となりうるタンパク質や遺伝子などの生体物質です。診断、予後および治療効果の評価指標として重要な役割を持つため、ALSにかかわる医療関係者や患者団体（ALSコミュニティ）から大きな関心が寄せられています。MTPAではマサチューセッツ総合病院の協力のもと、ラジカヴァで治療を行うALS患者さん約300人を対象としたバイオマーカーを

評価する研究を開始しました。この研究は全米の約40施設で実施され、酸化ストレス、炎症、神経細胞障害・神経細胞死に関する推定バイオマーカーパネルの評価を実施します。

この研究を通じて、ラジカヴァによる治療がALSの病態進行に与える影響について理解を深めることを期待しています。この研究には当社以外にも、複数の企業の協力があり、それぞれ新たな評価技術を提供しています。バイオマーカー研究は米国におけるMTPA初の臨床研究であり、当社ビジネスにおける重要な節目となります。私たちは、この研究を主導し、ALSコミュニティメンバーと連携できることを誇りに思っています。2019年にバイオマーカー研究に参加する患者さんの登録を開始し、年末までに最初の中間解析を行う予定です。



図っていきます。ラジカヴァ経口剤は、現在の点滴静注剤に比べて投薬が簡便で、利便性が大きく改善することから、より多くの患者さんに薬剤を届けることができ、医療のアンメット・メディカル・ニーズを満たすとともに、ラジカヴァの価値を最大化していけると考えています。

## ② VLPワクチン

メディカゴは植物由来VLP技術を用いた新規ワクチンの研究開発に特化したバイオ医薬品会社です。VLPは、ウイルスと同様の外部構造を持ち、ワクチンとしての高い免疫獲得効果(有効性)が期待されることに加え、遺伝子情報を持たないため体内でウイルスの増殖がなく、安全性にも優れる有望なワクチン技術として注目されています。また、コスト面や製造期間においても、既存ワクチン製造技術より優れる可能性があります。

メディカゴは植物の細胞内にVLPを生成させ、効率的に抽出・精製する独自技術を有しており、2017年-2018年のインフルエンザ流行時期に季節性インフルエンザワクチンの成人におけるフェーズ3試験を米国・カナダで終了させています。2019年度は、同ワクチンの高齢者におけるフェーズ3試験の結果を第2四半期に取得し、本年度中に成人の適応とあわせて、米国での承認申請を実施し、2021年度からの販売開始をめざしています。

## ③ ND0612

ニューロダームは難溶性の化合物を液化する独自の製剤技術を有するとともに、医薬品とデバイスを組み合わせる「デザインドファーマシューティカルズ」によって有効性の向上や副作用の軽減を図ったパーキンソン病治療剤ND0612の開発を進めています。パーキンソン病の患者数は米国だけでも約100万人ともいわれ、同治療剤の研究開発は全世界のアンメット・メディカル・ニーズを満たすことのできる、臨床的価値の高い事業と考えています。

2018年度は、ND0612の開発計画の見直しについて、米国食品医薬品局(FDA)と協議を進め、米国申請に向けたフェーズ3試験計画について概ね合意することができました。今後はこの計画に基づいて、2021年度の欧米同時申請、2022年度の発売をめざしていきます。

