



小野薬品工業株式会社

米国 Deciphera Pharmaceuticals 社買収契約締結に関する説明会

2024 年 4 月 30 日

[登壇者]

4 名

代表取締役会長 CEO

相良 暁 (以下、相良)

代表取締役社長 COO

滝野 十一 (以下、滝野)

執行役員 事業戦略本部長

谷川 雅之 (以下、谷川)

広報部長

井村 竜太 (以下、井村)

登壇

井村：本日はお忙しい中、米国 Deciphera Pharmaceuticals 社買収に関する説明会にご参加いただきまして、誠にありがとうございます。説明を始めさせていただく前に、冒頭、注意事項を申し上げます。

まず本説明会ですが、将来の予想が含まれており、その実現性は保証されないという点、TOBの成立ですが、株主の応募、政府承認など、さまざまな要因により、不確実性があるということ、TOBに関する情報は、SECにファイリングされた届出書に詳細な内容が記載されており、具体的な内容は当該届出書を参照されたいという点、最後に TOBに関する情報につきまして、ディスクレーマーに記載された内容及び SECにファイリングされた届出書に記載された内容が優先され、この説明会の内容について、いかなる意味でも責任を負担するものではないということを最初にお伝えします。

それでは、相良より説明申し上げます。よろしくお願いいたします。

相良：皆様、ゴールデンウィークの真ただ中にお集まりいただきまして、誠にありがとうございます。

それでは、Deciphera 社の買収について説明を進めてまいりたいと思います。

Agenda



- 01 本買収契約の概要
- 02 小野薬品の成長戦略
- 03 Deciphera Pharmaceuticals社の概要
- 04 本買収の戦略的意義

本日の説明は、まず私から契約の概要について、それから ONO の成長戦略についてお話し申し上げます。Deciphera 社およびそのパイプライン、それから開発・研究の実情、この辺りは滝野からご説明して、最後、私のほうでまた、まとめさせていただきたいと思っています。どうぞよろしくお願ひします。

本買収契約の概要



対象会社	Deciphera Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: DCPH)
買収価格	一株当たり25.60米ドルで現金にて取得、総額約24億米ドル (2024年4月26日の終値(14.65米ドル/株)に対して74.7%、同日より過去30日の売買高加重平均株価に対して68.8%のプレミアム)
買収の方法・資金調達方法	本買収のために設立する当社の完全子会社によるDeciphera社の全ての発行済み株式の現金による公開買付け、及びその後の同社のDeciphera社との合併により、Deciphera社が当社の完全子会社として存続 /買収資金は手元資金及び銀行借入れにより調達
クロージング	議決権ベースで50%超のDeciphera社株主が当社の株式公開買付に応じること、独占禁止法関連当局の承認、及びその他のクロージング条件の充足が前提
スケジュール	2024年度第2四半期に買収完了予定
買収完了後の事業運営	Decipheraは小野のグループの一員として本社をマサチューセッツ州ウォルサムに置き、独立して事業を運営
業績への影響	本買収による業績への影響は現在精査中 (5月9日に公表予定の2025年3月期 連結業績予想につきましても、現在精査中のため、本買収による影響を織り込まずに公表いたします。今後報告すべき事由が発生した場合は速やかに公表いたします。)

5/25

まず、本買収契約の概要についてです。

買収価格は、一株当たり 25.6 米ドル、総額約 24 億米ドルを、現金を対価として買収することで合意しました。

合意した取得価格は、Deciphera 社の潜在株式を含む発行済普通株式数、約 9 億 4,700 万株の前提に基づいており、Deciphera 社株式の 2024 年 4 月 26 日 14.65 ドルに対して 74.7%、それから同日から遡ること過去 30 日間の売買高加重平均価格に対しまして 68.8%のプレミアムを加えた価格となります。

取引手法としましては、本買収のために設立する当社の完全子会社による Deciphera 社の全ての発行済株式の現金による公開買付け、およびその後の Deciphera 社との合併を通じて実行をされます。買収資金は、手元資金および銀行借入にて調達します。

買収が完了しますと、Deciphera は当社が保有する完全子会社となりますが、本社は現在のマサチューセッツ州ウォルサムのまま、当社グループの子会社として、引き続き独立して事業を運営いたします。買収当初は、Deciphera として引き続き事業を継続するという事です。

本買収は、Deciphera 社の議決権ベースで 50%超えの株主が当社の株式公開買付けに応じること、独禁法関連当局の承認、およびその他の一般的なクローリング条件の充足を前提として、本年 2024 年第 2 四半期中に完了する予定です。

本買収による当社業績への影響は現在精査中であり、5 月 9 日に 2025 年 3 月期連結業績予想を公表いたしますけれども、そこには織り込みません。今後、報告できる状況になりましたら、ご案内を申し上げたいと思っています。

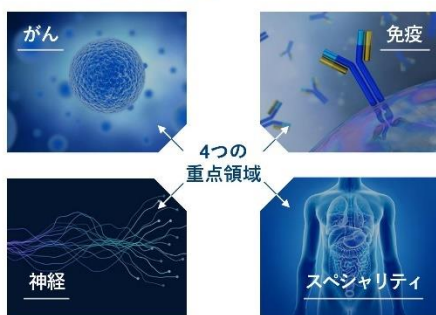
グローバルスペシャリティファーマに向けた成長戦略



革新的な新薬を世界中に提供し続ける「グローバルスペシャリティファーマ」を目指し、「グローバルパイプラインの強化」と「欧米自販の実現」等に戦略的に取り組んでいる

成長戦略：パイプライン強化とグローバル開発の加速

- 研究本部・開発本部・事業戦略本部の連携による、4つの重点領域でのパイプライン拡充
- 臨床試験から申請承認までを自社で実施できるグローバル開発体制の構築



成長戦略：欧米自販の実現

- マサチューセッツ州ケンブリッジへのオフィス移転
- コマーシャル部門・ファーマコヴィジランス部門・メディカル部門等で人材を採用し、Velexbru®の上市に向けた自販体制を構築中（現在、米国約120名、欧州約50名）



7/25

現在、私ども小野薬品では、欧米で開発し、自社で販売していこうということを一番大きな目標にいたしまして、グローバルスペシャリティファーマを目指しています。

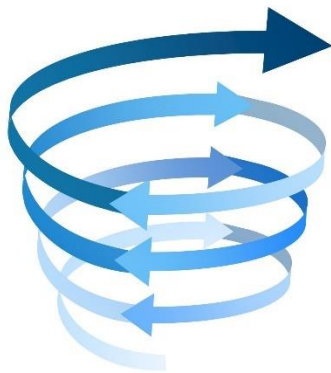
現在、自社の創薬では、がんと免疫、神経、スペシャリティという四つの重点領域を研究分野としています。

加えて、スライドの右側になりますけれども、海外の自販に向けまして、現在 Velexbru の 2026 年の承認販売に向けて、OPUS (ONO PHARMA USA, INC.) を充実させながら、開発・治験を進めているところです。

グローバルスペシャリティファーマに向けた成長戦略



M&Aによる「有望なグローバルパイプラインの獲得」と「欧米販売体制の強化」は、グローバルスペシャリティファーマへの成長をさらに加速させる1つの重要な手段



④ さらに有望なグローバルパイプラインの創製／獲得・開発・販売

③ グローバルプレゼンスの向上、成長により得られた利益の再投資

② 欧米自社販売体制の強化によるパイプラインの価値最大化

① 有望なグローバルパイプラインの創製／獲得・開発

8/25

このスライドは、今回の M&A によって、われわれのこのグローバルスペシャリティファーマに向けたステップがどのようにより進みやすくなるかを表したものです。

下のほうからご覧になっていただければと思いますが、現在も有望なグローバルパイプラインを自社でも取り組み、そして外からも取ってこようという活動を進めています。それが進んでいきますと、自社でアメリカ、ヨーロッパで販売ができるようになる。そして、その結果、成長していくことによって、よりグローバルのプレゼンスを向上していける。そうすることによって、一番上ですね、さらに有望なグローバルパイプラインの創製ということで、このスライドでは、自社製品に加えまして、外からいろいろな手法で新たなパイプラインを加えていくということをどんどん進めていけるのではないかと考えていまして、そういうことをお示ししています

それでは、Deciphera 社の会社の概要などについて、滝野からご説明したいと思います。

がんを対象としたキナーゼ阻害剤の研究・開発・販売に注力する米国ベンチャー企業（2003年設立）

拠点	【米国】 マサチューセッツ州ウォルサム（本社）、カンザス州ローレンス（研究） 【欧州】 ツーク（スイス）、ミュンヘン（ドイツ）、パリ（フランス）、ミラノ（イタリア）、バルセロナ（スペイン）、アムステルダム（オランダ）																
代表者	● Steven L. Hoerter（President, Chief Executive Officer）																
主な製品・開発化合物	● QINLOCK® 4th line GIST ¹⁾ ／欧米含む40カ国以上で上市、一部の ²⁾ 2nd line GIST／Phase 3 ● Vimseltinib TGCT ³⁾ ／欧米申請準備中、cGVHD ⁴⁾ ／2024年下期Phase2開始予定 ● DCC-3116 KRAS G12C変異陽性がん及びGIST／Phase 1b ● DCC-3084 がん／Phase 1準備 ● DCC-3009 GIST／2024年IND予定																
直近3年の業績及び財政状況	<table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th>FY 2021</th> <th>FY 2022</th> <th>FY 2023</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>売上高（千米ドル）</td> <td>96,148</td> <td>134,036</td> <td>163,356</td> </tr> <tr> <td>純資産（千米ドル）</td> <td>304,720</td> <td>341,691</td> <td>350,916</td> </tr> <tr> <td>1株当たり純資産（米ドル）</td> <td>5.25</td> <td>4.53</td> <td>4.13</td> </tr> </tbody> </table>		FY 2021	FY 2022	FY 2023	売上高（千米ドル）	96,148	134,036	163,356	純資産（千米ドル）	304,720	341,691	350,916	1株当たり純資産（米ドル）	5.25	4.53	4.13
	FY 2021	FY 2022	FY 2023														
売上高（千米ドル）	96,148	134,036	163,356														
純資産（千米ドル）	304,720	341,691	350,916														
1株当たり純資産（米ドル）	5.25	4.53	4.13														

1) 消化管間質腫瘍（Gastrointestinal Stromal Tumor）、2) c-KIT遺伝子exon 11+17/18変異陽性患者
 3) 腱滑膜巨細胞腫（Tenosynovial Giant Cell Tumor）、4) 慢性移植片対宿主病（chronic Graft-Versus-Host Disease）

滝野： まず Deciphera 社の概要をご紹介します。

Deciphera 社は、がんを対象としたキナーゼ阻害剤の研究・開発・販売に注力します、米国マサチューセッツ州に本社を構える米国ベンチャーです。

本社は米国のマサチューセッツ州ウォルサムということで、欧州 6 カ国にも販売拠点を構えています。

現在保有の主なパイプラインの中で、QINLOCK は 4 次治療の消化管間質腫瘍、以下 GIST と略しますが、この消化管間質腫瘍を対象に、欧米を含む全世界 40 カ国以上で上市されており、また、より早期の治療ライン、これは一部の遺伝子変異を対象とするものですが、早期の治療ラインへの適応拡大も検討しているところです。

また、次、Vimseltinib は、腱滑膜巨細胞腫、以下 TGCT と略しますが、腱滑膜巨細胞腫を対象に、欧米での申請に向けて準備しているところです。QINLOCK に続いて二つ目の製品となることが期待されているところです。

このほか、がんを対象とした複数のキナーゼ阻害剤が臨床ステージ、または臨床試験準備中の段階にあります。Deciphera 社の業績についてですが、下段に示しますように、事業成長のフェーズにありまして、直近 3 年間の売上は毎年増加しているところです。

Deciphera社の強み・魅力



がん領域で5つの製品・パイプラインを自社創薬、研究・開発・販売のそれぞれで実績を積んでいる

製品と臨床開発後期段階のパイプライン	欧米での販売体制
<ul style="list-style-type: none">● QINLOCK®は欧米含む40カ国以上で承認（2023年売上高は163Mドル）、早期治療ラインへの適応拡大を計画● VimseltinibはTGCTを対象に2024年欧米申請予定	<ul style="list-style-type: none">● QINLOCK®：米国及び欧州6カ国に自社販売組織● Vimseltinib：QINLOCK®とターゲット医師の70~80%が重複、QINLOCK®の販売インフラの最大限活用が可能
臨床開発早期段階のパイプライン	研究開発プラットフォーム
<ul style="list-style-type: none">● ファーストインクラスの作用機序を含め、がん領域で3つの臨床開発早期化合物を自社創製	<ul style="list-style-type: none">● 独自の創薬プラットフォームであるスイッチ・コントロール・プラットフォームによる創薬活動● 臨床入りしている化合物は全て自社創製品
マネジメントチーム	
<ul style="list-style-type: none">● CEOを含め、マネジメント陣の製薬業界における豊富な経験	

11/25

当社が考えます、Deciphera社の強み・魅力についてご説明いたします。

まず、先ほども申し上げたとおり、QINLOCKという上市品があり、さらにVimseltinibが上市されると、がん領域で二つの製品を有する企業となる可能性がある点です。

QINLOCKに関しては、米国および欧州6カ国において、自社販売組織を持っています。

Vimseltinibの販売については、Vimseltinibの開発が行われていますTGCTと、QINLOCKが承認を受けたGISTで、米国では処方医師の7~8割が重複しており、現有のQINLOCKの営業組織を最大限活用することが期待されます。

パイプラインの創出という観点では、独自の創薬プラットフォームを生かして、QINLOCKやVimseltinib、そして早期臨床段階の3化合物を合わせて、がん領域に五つの製品もしくは化合物を自社で創出した実績があります。

こうした研究・開発・販売のそれぞれでの実績は、欧米の製薬業界で数十年の経験を持つ同社のマネジメント陣のリードによって達成されたものです。

QINLOCK®の概要



4th line GIST¹⁾を対象に欧米を含めた全世界40カ国以上で承認されている唯一の治療薬

疾患の特徴	消化管壁にできる悪性腫瘍の一種 欧米それぞれの罹患者数は約4,000~5,000人 ²⁾
作用機序/ モダリティ	KIT阻害剤/低分子化合物（経口投与）
開発状況	① 4th line GIST：上市済（米2020年、欧2021年） ② 一部 ³⁾ の2nd line GIST：Phase 3試験実施中 共に、米FDAより画期的治療薬に指定
販売実績	2023年の全世界売上高は163Mドル
他社提携	Greater Chinaの権利を中国Zai Lab社に導出済 （2019年）



1) 消化管間質腫瘍（Gastrointestinal Stromal Tumor）
2) 弊社市場調査
3) c-KIT遺伝子exon 11+17/18変異陽性の患者

QINLOCK の概要です。

QINLOCK は、KIT というリン酸化酵素、KIT キナーゼを阻害する低分子化合物でして、4 次治療の GIST を対象に、欧米を含めた全世界 40 カ国以上で承認されている唯一の承認薬です。現在は特定の遺伝子変異を有する 2 次治療の GIST を対象に、効能追加の検討が実施されているところです。

GIST は消化管壁にできる悪性腫瘍の一種でして、罹患者数としては欧米それぞれで約 4,000~5,000 名おられます。

全世界の 40 カ国以上で承認を取得しておりまして、2023 年の全世界売上は 163 ミリオンドルでした。

ピポタル試験 (INVICTUS) : 4th line GISTに対する有効性



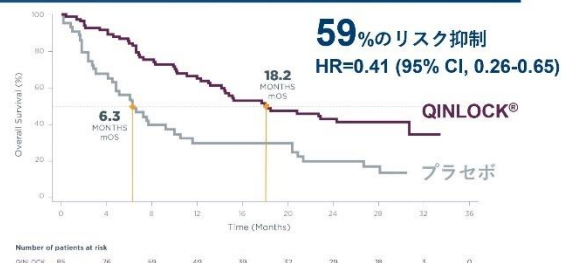
プラセボ群に対し統計学的に有意なPFSの延長、臨床的意義のあるOSの延長が示された
(米国FDAより画期的治療薬指定)

デザイン	無作為化・二重盲検・プラセボ対照Phase 3試験 (12か国29施設で実施)
コホート	QINLOCK® 150mg 1日1回投与群 (N=80)、プラセボ群 (N=40)
安全性	Grade 3/4の有害事象の発生頻度は両コホートで同等 (QINLOCK®群 49.4%、プラセボ群 44.2%)

主要評価項目：PFS



副次評価項目：OS



Blay JY et al. Lancet Oncol. (2020), von Mehren M et al. ESMO Poster Presentation (2021)より編集 13/25

こちらは、QINLOCK が承認を取得した 4 次治療の GIST を対象としたピポタル試験、INVICTUS 試験と名前が付いていますが、その結果です。

多施設、多国籍で実施されました、プラセボ対象の二重盲検比較試験におきまして、QINLOCK を投与された群では、主要評価項目に関して統計的に有意な PFS の延長を示し、また副次評価項目に関して臨床的意義のある OS の延長が示されました。安全性に関しても、プラセボ群と有害事象の発生頻度は同等でありました。

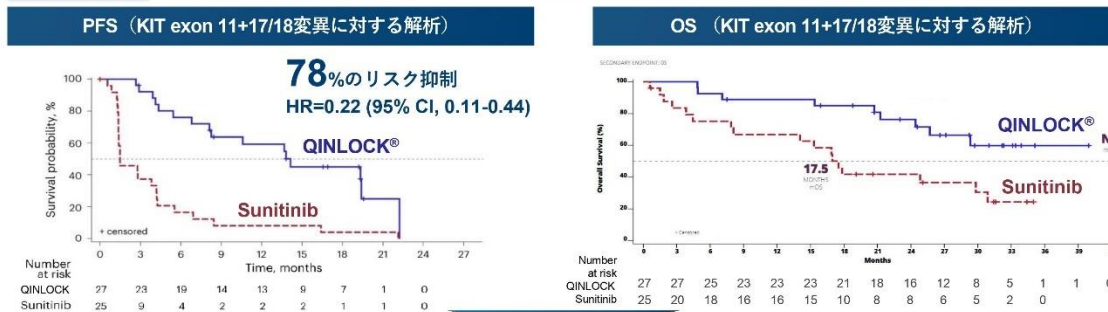
この結果をもちまして、米国の FDA より、画期的治療薬の指定を受けて、承認されています。

ピボタル試験 (INTRIGUE) : 2nd line GIST 後解析結果



主要評価項目である全集団におけるPFSの延長は未達であったが、c-KIT exon 11+17/18変異を有する患者集団に対して高い有効性が示された (米国FDAより画期的治療薬指定)

デザイン	無作為化・オープンラベル・Sunitinib対照Phase 3試験/22か国121施設で実施
コホート	QINLOCK® 150mg 1日1回投与群 (N=226) 、Sunitinib 50mg 1日1回 ¹⁾ 投与群 (N=227)



KIT exon 11+17/18変異陽性の2nd line GIST患者を対象とした新規Phase 3 (INSIGHT) 試験を実施中

1) 4週間投与 + 2週間休薬を連続
Michael C. Heinrich et al, Nature Medicine (2024), Decipera社QINLOCK®特設ページより編集 14/25

QINLOCK は、この 4 次治療の GIST を対象に承認を受けた後、より早期の治療における有用性について検証が行われてまいりました。

この INTRIGUE 試験というピボタル試験は、遺伝子変異を問わず、2 次治療の GIST を対象に、標準治療薬であります Sunitinib を対照とした二重盲検比較試験です。

この試験の主要評価項目です、全集団における PFS の延長は達成されませんでしたので、この INTRIGUE 試験は失敗に終わりました。

しかし、その後の解析により、特定の遺伝子変異によって、KIT 阻害剤の exon11、または 17/18 という領域に変異のある患者群においては、QINLOCK 群では、Sunitinib 群に対して PFS および OS が延長され得ることが示唆されました。下の図のような状況です。

この特定の遺伝子変異を有する患者集団における有用性について、米国 FDA から 2 度目の画期的治療薬指定を受けていまして、現在この変異を有する患者さんを対象とした新規の Phase 3 試験の実施が進んでいるところです。

QINLOCK®の市場ポテンシャル



現在の適応症（4th line以降GIST）は事業拡大フェーズにあり、効能追加及び流通地域拡大による更なる市場拡大が期待

収益の成長（四半期毎）

4th line GISTにおいて、四半期毎に収益が拡大
一部の¹⁾2nd line GISTへの効能追加により更なる成長が期待



欧州販売体制構築状況

欧州6カ国において自社販売活動を展開²⁾
提携活動を含めて今後も販路拡大に取り組む



1) c-KIT遺伝子exon 11+17/18変異陽性の患者
 2) フランスはExpanded Access Program、スイスではNamed Patient Salesによる流通
 2024年2月 Deciphera 社 社 概 要 プレゼン

QINLOCK の市場ポテンシャルについてです。

足元の業績に関しましては、4次治療のGISTにおける収益は着実に拡大していております。

今後の収益拡大の要素は大きく二つです。まず一つは適応症に関して、特定の遺伝子変異を有する2次治療での効能追加を検討しています。そして二つ目は販路に関して、現在、米国および欧州6カ国で自社販売組織を構えていますが、欧州においては、提携活動を含めて引き続き販路の拡大に取り組んでいまして、今後さらに収益が拡大するものと期待しています。

Vimseltinibの概要



TGCT¹⁾を対象に欧米で申請準備中の、ベストインクラスの可能性のあるCSF1R阻害剤

疾患の特徴	<ul style="list-style-type: none">● 関節に生じる良性腫瘍● 進行は緩やかだが、関節痛・関節可動域の減少・腫脹等によりQOLが低下● 罹患者数は欧米それぞれ約15,000人²⁾ 
作用機序／モダリティ	CSF1R阻害剤／低分子化合物（経口投与）
開発状況	①TGCT：Phase 3試験成功、欧米申請（米国 2024年2Q、欧州2024年3Q）準備中 ②cGVHD ³⁾ ：2024年2HにPhase 2試験開始予定
販売戦略	米国において、GIST及びTGCTのターゲット医師の70～80%が重複 ²⁾ 、QINLOCK®の販売体制を活用した効率よい販売活動が可能

Vimseltinibのポジショニング（米国）



当該ポジショニングでのPhase 3（MOTION）試験成功

欧米の市場規模

U.S. Opportunity	E.U. Opportunity
<ul style="list-style-type: none">1,400 Incident Patients¹⁾\$700MM+ U.S. TAM²⁾	<ul style="list-style-type: none">9,000 Prevalent Patients¹⁾1,300 Incident Patients¹⁾

Seen by Oncologists / Seen by Surgeons

1) 腱滑膜巨細胞腫（Tenosynovial Giant Cell Tumor）
2) 2024年2月時点（Deciphera社社会発表プレゼン）
3) 慢性移植片対宿主病（chronic Graft-Versus-Host Disease）

ここからは、Vimseltinib の概要についてご説明いたします。

Vimseltinib は、CSF1、コロニー刺激因子 1、CSF1 受容体の活性化を阻害する低分子化合物として、腱滑膜巨細胞腫、TGCT を対象に開発が進められています。

TGCT は、写真にもありますように、関節に生じる良性腫瘍でして、欧米それぞれで約 1 万 5,000 人の患者さんがおられます。進行は緩やかではありますが、関節痛・関節可動域の減少・腫脹等により QOL が低下いたします。手術によって腫瘍が取り除ける場合もありますが、手術不適応、または手術後の再発患者さんにおいては、高い医療ニーズのある疾患です。

昨年 TGCT を対象にした Phase 3 試験、こちらは MOTION 試験とされていますが、その Phase 3 試験でポジティブなトップラインデータが公表されまして、米国は本年のセカンドクォーター、欧州は本年のサードクォーターでの申請に向けて、準備が進められているところです。

TGCT の販売に関して、米国では GIST と TGCT で処方医師が 70～80%重複していますので、既にある QINLOCK の販売体制を活用して、効率の良い販売活動が可能になると考えています。

加えて、本年の後半には、慢性移植片対宿主病、chronicGvHD を対象とした適応拡大の臨床試験も併せて開始する予定です。

ピボタル試験 (MOTION) : TGCTに対する有効性



プラセボ群に対し統計学的に有意なORRの向上と、腫瘍体積スコアの減少、関節可動域等の6つの副次評価項目の全てで改善が示された

デザイン	無作為化・二重盲検 ¹⁾ ・プラセボ薬対象Phase 3試験 / 13か国35施設で実施
コホート	Vimseltinib 30mg 週2回投与群 (N=83)、プラセボ群 ¹⁾ (N=40)



グラフはDeciphera社Earnings Conference Call資料より編集
1) 治療24週までは二重盲検、それ以降はオープンラベルの長期フォローアップ (プラセボ群もVimseltinib群にクロスオーバー可能)

17/25

こちらは、昨年10月に公表されましたVimseltinibのMOTION試験、ピボタル試験のトップラインデータです。

多施設、多国籍で実施されましたプラセボ対象の二重盲検比較試験において、主要評価項目であるORRについて、統計学的に有意な向上が認められたほか、腫瘍体積スコア、TVS、Tumor Volume Scoreでありますとか、関節可動域などの六つの副次評価項目の全てで改善が認められました。

Deciphera社のパイプライン



独自のスイッチ・コントロール・プラットフォームにより、下記5化合物を自社創薬

パイプライン	標的	対象疾患	ステージ	起源	スイッチコントロールキナーゼ阻害剤
QINLOCK®	KIT	4th line以降 GIST 一部の2nd line GIST	40か国以上で上市 (米2020年、欧2021年) P3	deciphera	<p>SWITCH POCKET</p> <p>QINLOCK</p> <p>ACTIVATION SWITCH LOCKED IN THE "OFF" STATE</p> <p>TYROSINE KINASE</p> <p>キナーゼのスイッチ領域及び活性化ループに結合し、不活性化状態のままになるようカギをかけるコンセプト</p>
Vimseltinib	CSF-1R	TGCT cGVHD	欧米申請準備中 2024年下期P2開始予定	deciphera	
DCC-3116	ULK	KRAS G12C変異陽性がん及びGIST	P1b	deciphera	
DCC-3084	Pan-RAF	がん	P1準備	deciphera	
DCC-3009	Pan-KIT	GIST	2024年にIND予定	deciphera	

1) c-KIT遺伝子exon 11+17/18変異陽性患者
Deciphera社QINLOCK特設HP

18/25

Deciphera 社のパイプラインの一覧をこのスライドにまとめています。

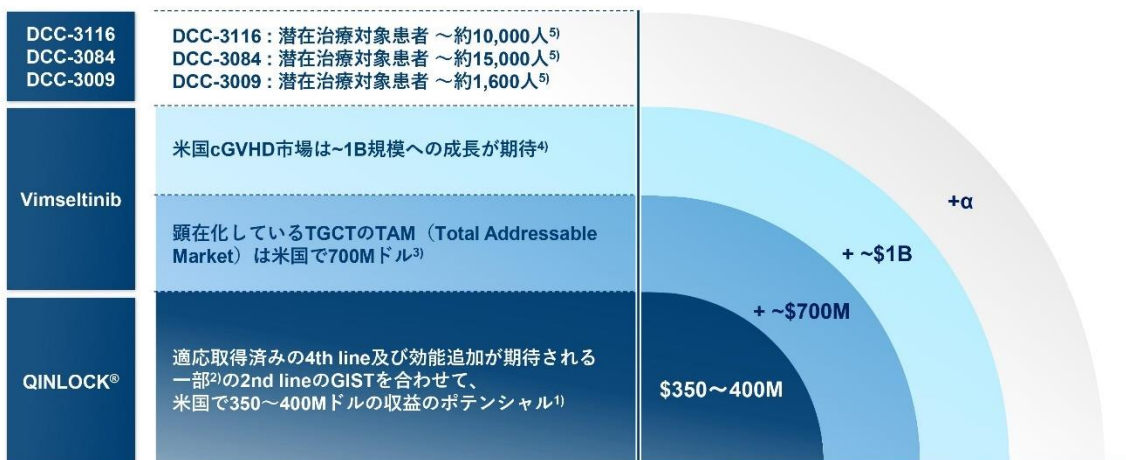
先ほどご紹介しました QINLOCK、Vimseltinib に加えまして、早期臨床段階にがん領域で三つのキナーゼ阻害剤があります。これら全て、Deciphera 社の独自のスイッチ・コントロール・プラットフォームから自社創薬された化合物です。

スイッチコントロールキナーゼは、キナーゼのスイッチ領域および活性化ループに結合して、不活性化状態のままになるようにカギをかけるようなコンセプトでして、そういう化合物のデザインになっています。それにより、従来のキナーゼ阻害剤と比べて標的選択性が高く、高い有効性と安全性を両立できる創薬プラットフォームと期待されています。

Deciphera社パイプラインの市場ポテンシャル



QINLOCK®及びVimseltinibの2剤で全世界で1Bドルのピーク売上のポテンシャル
Vimseltinibの効能追加やその他の早期化合物の上市により更なる収益拡大の可能性が期待



1), 3) Deciphera社 2024年2月 Corporate Presentation
 2) c-KIT遺伝子exon 11+17/18変異陽性患者
 4) 小野社内市場調査
 5) 作用機序等から想定される薬効症における米国の潜在治療対象患者数を小野で試算

これらパイプラインによって期待される市場ポテンシャルについて、簡単にご説明いたします。

Deciphera 社は、まず QINLOCK が 4 次治療の GIST、そして効能追加が期待される特定の遺伝子変異を有する 2 次治療の GIST を合わせて、米国で年間 350 から 400 ミリオンドルの収益が期待できると見込んでいます。そして、Vimseltinib に関しては、Deciphera 社は、先ほどご紹介しました Phase 3 試験の対象となる患者の市場規模が、米国でおよそ年間 700 ミリオンドルになると見込んでいます。

すなわち、QINLOCK および Vimseltinib の 2 剤を合わせて、全世界でおよそ年間 1 ビリオンドルの市場ポテンシャルが期待される、さらに Vimseltinib は、慢性移植片対宿主病、chronicGvHD への適応拡大が検討されていまして、早期 3 化合物の開発も進められる状況です。

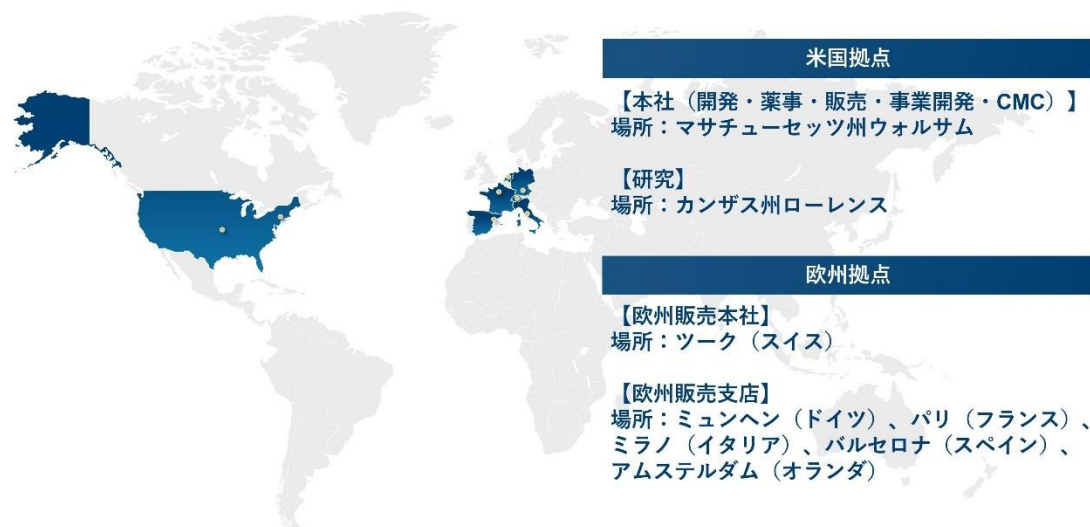
これら市場ポテンシャルの是非につきましては当社でも引き続き精査してまいります。当社のグローバルスペシャリティファーマへの成長を加速するドライバーの一つになり得るものとして、その市場ポテンシャルには期待しています。

次のスライドで、Deciphera 社の概要説明の最後になります。

Deciphera社の拠点・組織体制



研究・開発・CMC機能は米国を拠点とし、販売体制は米国及び欧州6カ国に構築（全従業員数355名¹⁾）



1) 2024年2月 Deciphera社社会概要プレゼン 20/25

こちらにお示ししますように、Deciphera 社は、従業員が約 350 名程度です。

本社機能は、米国のマサチューセッツ州ウォルサム、研究機能はカンザス州に構えています。

欧州に関しましては、スイスを欧州販売本社として、計 6 カ国において自販体制を構えているというところ。私からは以上です。

相良： 今、最後のところで、Deciphera のロケーションについても話がありましたけれども、ご質問が後々出ると思いますが、ONO との統合はスタート時点ではしません。

なぜかと言うと、現在、ONO の現地法人では、Velexbu の上市に向けて、それを最大のテーマとして人材を集め、開発を進めています。Deciphera は Deciphera で、QINLOCK の効能追加の試験に取り組んでいますし、Vimseltinib も現在、申請準備中で、間もなく申請しますし、次の効能追加の仕事も間もなく始めるという状況ですので、買収当初はそれぞれが統合せずに進めていきます。最終的には間違いなく統合するのですが、そのタイミングについては、いろいろと状況を判断しながら進めていこうと考えています。

ここからは本買収の戦略的意義の説明を進めていきます。

本買収の戦略的意義



Deciphera社買収はグローバルスペシャリティファーマへの成長ドライバーの1つとして重要



22/25

本買収には、三つの戦略的意義をわれわれとしては見いだしています。

一つは、オプジーボをはじめ、いろいろとがん領域のパイプラインを現在強化しているところですが、それに固形がんのパイプラインが新たに加わってくるという状況になります。これがリッチになっていくということです。

二つ目は、アメリカ、そしてヨーロッパでも開発と販売を成功させた、あるいは既の実現しているという実績を Deciphera は持っていますので、ONO の現状、日本、韓国、台湾に加えて、欧米のそういう開発、販売組織が強化されるということです。

三つ目は、彼らは、キナーゼ創薬力が非常に高いものですから、まだまだキナーゼの抗がん剤というのはやっつけていける魅力もあるということです。

そういう研究、創薬のプラットフォームを得ることができるということで、大きく三つのプラスをわれわれとしては得ることができるということになります。

買収により補完される両社の強みと経験



両社の強み・経験を活かし、グローバルスペシャリティファーマへの成長を加速させる



23/25

今の話から、両社の強みを掘り下げてみますと、スライドのようになるかと思っています。

がん免疫・血液がん領域で現在 ONO は仕事をしていますけれども、固形がんの領域で開発・販売が加わってくる。また、日韓台、アジアの一部の販売実績に加えて、アメリカ、ヨーロッパでの開発・販売実績は先ほど申しあげました。

研究開発への潤沢な投資。自分たちで研究開発費が潤沢にあるというのは、ちょっと口はばったいですが、Deciphera の化合物をしっかりと開発して上市していく。その資金については、彼らは常にいろいろな苦勞をしながら手当てをしているわけですが、そういう辺りについては、ONO の資金がプラスで使えるし、ONO としては魅力的なニッチのパイプラインを得ることができると。そんなことになるかと思っています。

次は、さまざまなモダリティへの研究投資、特にわれわれはオープンイノベーションを積極的に展開しています。それに加えて、彼らの創薬のプラットフォームが加わってくるということで、右の水色のところですが、がん領域でのプレゼンスが上がり、グローバルでの開発と販売が強化され、継続的なパイプラインの拡充ができ、新たなイノベーションの創出の可能性も高まってくると。そういう形で進めてまいりたいと思っています

買収によるグローバルパイプラインの拡充



がん領域を中心にグローバルパイプライン¹⁾数が増加し、血液領域及び消化器領域における
 フランチャイズの強化が期待

	早期試験	ピボタル試験	申請・承認
固形がん	ONO-7475 肺がん、EGFR変異陽性NSCLC/P1	ONO-4578 胃がん/P2	QINLOCK®の販売インフラを活用し、 消化器領域での競争力強化
	ONO-8250 HER2陽性固形がん/P1	ONO-4578 結腸・直腸がん、肺がん、NSCLC、 HER2陽性乳がん/P1	
	DCC-3084 固形がん/P1	ONO-7914 固形がん/P1	
	DCC-3009 GIST/P1準備	DCC-3116 固形がん/P1	
血液がん/ 血液疾患	ONO-7018 非ホジキンリンパ腫、 慢性リンパ性白血病/P1	ONO-4059 中脳神経系原発リンパ腫/P2	Velexbu®の販売インフラの活用 血液領域での競争力強化
	ONO-4685 T細胞リンパ腫/P1	Vimseltinib cGVHD/P2準備	
免疫・ スペシャリティ	ONO-4685 自己免疫疾患/P1	ONO-4059 天疱瘡/P3	
神経	ONO-2020 神経変性疾患/P1	ONO-2808 多系統萎縮症/P2	
	ONO-1110 疼痛/P1	ONO-2910 糖尿病性神経障害、 化学療法誘発性末梢神経障害/P2	

1) 欧米を含む地域での開発が現在実施されている、又は将来実施される可能性のある化合物
 2) 2022年12月 Equillum社より、米国、カナダ、オーストラリア及びニュージーランドを含む地域の特許権を獲得

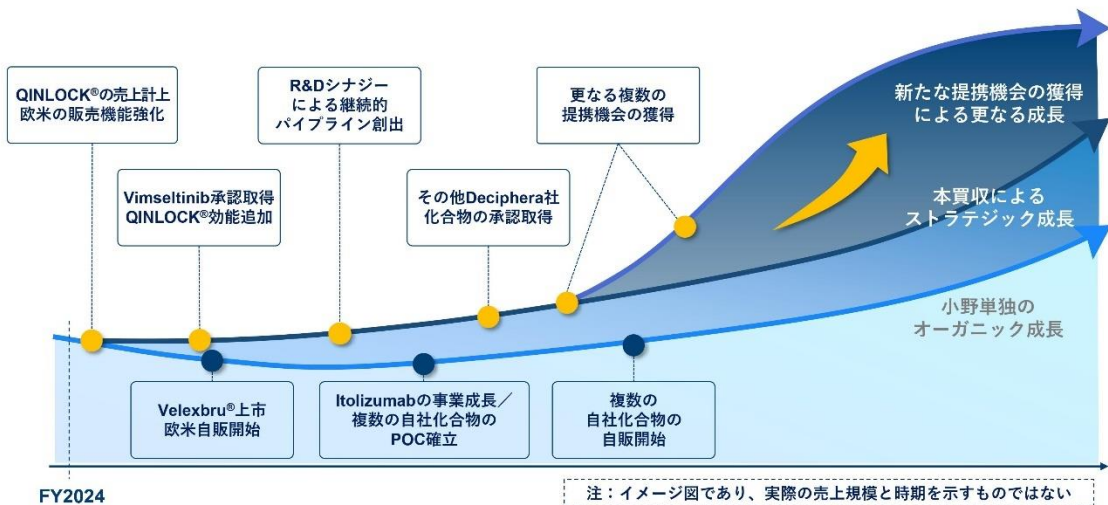
今回の買収によって、パイプラインが拡充されました。先ほど申しあげました五つの製品、あるいは新薬候補化合物を得ることができました。

それぞれに効能の追加も期待ができるということで、黄色の部分、このたびの買収によって加えられたパイプラインです。ブルーの部分、元来 ONO が生み出して、現在の開発にステージを移して行っているパイプラインになります。かなりリッチになってきたかと思っています。

グローバルスペシャリティファーマに向けた成長戦略



本買収によりパテントクリフによる収益減少へ対応するとともに、欧米のCapability強化により更なる
 グローバルライセンス・M&Aの機会を獲得することでグローバルスペシャリティファーマへと成長する



現在の ONO の背景、状況を申し上げますと、これはご承知のとおりですが、オプジーボのロイヤルティが段階的に下がってくる、糖尿病等の製品の特許もだんだんと切れていく、それからオプジーボの特許も 2031 年を最後に切れてくると。国によって違いますけれども、2028 年頃からオプジーボの特許が切れ始めて、31 年で終わるという状況です。

ですから、自社品の約 10 品目をグローバルで Phase 1/2 のステージに上げてきましたけれども、それに加えて、もう少し早い時期に売上を計上できるパイプラインを外から取る必要があるということです。

これは、今回の買収についてはその第一歩と考えており、先ほど申し上げたように、これに加えて、相乗効果が発揮できれば、さらなるパイプラインの強化につながるのではないかと考えています。

ここに示していますのは黄色い点々、これが Deciphera からの化合物を開発成功させて上市していくというシナリオ、併せて、ONO の Velembu あるいは Itolizumab を成功させて上市していく。グローバルのパイプラインが売上に変わっていくというところを示しています。これに自社品がいくつか加わってくるということを考えていますし、さらなる導入の機会もうかがっています。

先ほど申し上げましたように、Deciphera からの化合物のポテンシャルは 2 ビリオンドルあたりになるかと思っています。そのポテンシャルを存分に引き出せるように努めてまいりたいと思っています。

以上です。ご清聴ありがとうございました。

質疑応答

山口：シティグループ証券の山口です。二つお伺いします。まず、QINLOCK について簡単な確認です。2次治療の Sunitinib の試験そのものは、オーバーオールではうまくいかなくて、そこから 17/18 変異というところに変換しているのですが、この 17/18 変異の患者さんのセカンドラインに占める比率をもしご存じでしたら教えてください。

あと、エクスクルーシビティですけど、製品のエクスクルーシビティは 25 年に切れますが、パテントが 30、35、40 と並んでいますけれど、御社としては何年ぐらいをエクスクルーシビティの前提にしているのか。まず QINLOCK について、この 2 点を簡単をお願いします。

谷川：今の 2 次治療における特殊な遺伝子変異の患者さんの割合につきまして、Deciphera が実施した試験の割合からは 14% という数字が出ていますが、実際の実臨床での割合はまだ明確ではありませんので、今後精査していきたいと考えています。

QINLOCK の独占販売期間に関するご質問だと察しますが、複数特許を有してまして、これが 2034 年から 2042 年の間に満了を迎えてまいります。その期間の独占期間を期待しておりますが、実際これらの特許がジェネリックを排除できるかどうかを意見するのは困難なため独占期間について明確にお答えするのは難しいと考えています。

山口：二つ目は、Vimseltinib についてです。第一三共が TURALIO というのを出していて、おそらく ORR は同じぐらいだと思うのですが、TURALIO はコマーシャルとして非常に苦戦していて、毒性の問題だというふうに言われています。それに対して、この Vimseltinib は、有効性ではあまり差がないようにも見えるのですが、その辺、コマーシャルに見て、どのぐらいのポテンシャルがあるのか、差別化ポイントはどこかを再度教えていただけますでしょうか。対 TURALIO という意味で、です。

谷川：TURALIO との直接比較試験を実施しておりませんので、有効性に関して明確なことを申し上げるにはありません。あくまでも試験間比較ですが、同等もしくは同等以上と思っていますし、Vimseltinib の特長としては安全性が高いと考えています。

TURALIO に関しましては、肝毒性の問題があり、使用においては定期的な肝機能のモニタリングが必要と聞いていますし、REMS 指定されていますので、その部分においても、使用される先生、患者さんにとって、使用するところになかなかハードルがあるのではと想定しています。

Vimseltinib は、肝毒性は今のところ問題はありませんし、経口剤という使用しやすい剤型で、長く服用できると考えています。

肝毒性のところについては、TURALIO は Black Box Warning の記載がありますので、この点でも先生方が使用するにあたって躊躇するところがあるのでは、と考えています。

村岡：モルガン・スタンレーMUFG 証券の村岡です。よろしくお願いします。

Vimseltinib の件ですけれども、ピークで 700 ミリオンドルというのが、今の TURALIO を見ていると、桁も違うし、ずいぶん大きな数字になっているのですが、安全性だけでそこまで大きく変わると考えられる理由をもうちょっとだけ紐解いて教えてください。

谷川：TURALIO の毒性、あるいは使用制限というのは今お話ししたとおりで、われわれの市場調査でも、ポテンシャルがあると感じています。米国で 700 ミリオンドルというのは市場規模を示しており、実際のところ、そこまでいけたらと思っておりますが、そのうちのどこかに落ちるのかなとは思っています。

TURALIO の使用方法に関しましては、やはり関節に非常に痛みを覚える、あるいは可動域が制限されるという中で、肝機能検査を最初の 2 カ月は毎週実施しなければいけないと。その後、3 カ月後は週 2 回、その後は 3 カ月に 1 回になるのですが、なかなかここに使用したくても使用しづらいという制限があるのではないかとわれわれは考えています。

村岡：先ほどの相良会長の話の中で、今回のが第一歩であると、さらなる導入も考えているというお言葉があったと思います。とはいえ、今回 2.4 ビリオンドルで、御社が今持っていらっしゃる現預金等 4,000 億円ちょっとは、かなり使い切っちゃうという、計算上なるのですが、次の 2 歩目、3 歩目は、どういう前提で打てると考えていらっしゃるのでしょうか。

相良：これが 1 個目の M&A で、2 個目、3 個目をやると言ったわけではありませんで、常に外から良い化合物を取ってくるということはウォッチしていると。チャンスがあれば導入はしっかりやっていくということで、M&A を立て続けにやるよと言っていることではございませんので、一般的に導入はチャンスと、それから、ものがあればやるとご理解いただけたらと思います。

村岡：ありがとうございます。つまり、この規模感のもの、お金の使い方は当面は考えにくいけれども、100 億円単位のものだったら、ものと条件次第ですぐに決まる、決められるつもりではいるという感じですか。

相良：将来は分かりませんが、今、これをようやく M&A した時点で、次の M&A を考えているわけではありませんということです。

村岡：とはいえ、御社にとってほぼ初めての海外 M&A で、キャッシュをほぼ使い切っちゃうというのは、ちょっと大きいなと思います。言葉を変えると、これまで株価が弱かったときに、御社は柔軟に自社株買いとかをしていただけていたと思うのですが、これでしばらく自社株買いとかがやりにくくなるなという印象を持っているのですが、その理解はそういうことでよろしいでしょうか。

相良：いつも申し上げますけど、自社株買いについては、機動的に、そのときの状況を判断しながらやってきましたし、これからもそれは変わらないということです。この大きな金額ですけれども、この M&A については、それだけの価値を踏んで実施したということですので、その限りであります。

春田：U B S 証券春田です。Vimseltinib に関して、cGvHD で 1 ビリオンの市場のポテンシャルがあるということですが、先に、Itolizumab が進んでいるかと思imasので、改めてこの Itolizumab の aGvHD と Vimseltinib の cGvHD のポテンシャルについて解説していただきたいです。あと、Itolizumab がうまくいけば、このノウハウをレバレッジできるかと思imasけれども、その辺りの戦略についても少し教えてください。

谷川：最初の質問についてもう一度教えてください

春田：cGvHD のポテンシャルと aGvHD の、そこも Itolizumab があると思imasので、それぞれのポテンシャルじゃないですけど、どこら辺が共通しているとか、そういったところです。

谷川：cGvHD、chronicGvHD につきまして、先行品の抗体が、同じ CSF1 受容体を標的としているものがございまして、既に米国申請中ということで、作用機序から考えて、確度は高いと考えています。慢性の GvHD ですので、注射剤というよりも経口剤のほうが使用しやすいということを経市場調査で確認しています。

そういったことから、確度が一定程度あって、かつ経口剤ということで、cGvHD において、ステロイドのほか、新しい薬のコンビネーションで、開発が試みられていますので、新たな開発の仕方によっては大きなポテンシャルがあると考えています。

Itolizumab は急性の GvHD を対象としており、急性と慢性のところの境がなかなか難しいところもあるのですが、特徴も病態も実際違いますし、原因となる標的細胞も、免疫細胞も変わってくるのですが、大体移植から 100 日以内に起こるのを急性 GvHD で、それ以降に起こるようなものが慢性 GvHD ということで、同じ診療科の先生に患者さんを診てもらおうという意味では、うまくいけば Itolizumab のほうが先に上市されますので、その基盤を生かして、慢性 GvHD の市場性についてもアクセスできるのではないかと考えています。

春田：二つ目の質問です。この大型の M&A、初めてという話もあるかと思いますがけれども、パイプラインの強化が一番の目的かと思いますがけれども、カルチャーのフィットとか、ソフト面でのフィットはどう見ていらっしゃるのか。買収後、先ほどの説明では、しばらく自立的に事業を継続していくということでしたけれども、統合後はどういうふうに規律を利かせながら、自立性を持って、その会社を継続させていくのかというところをお伺いさせていただきます。それに加えて、相乗効果というところをお話しされていましたけれども、そういったシナジーの部分も少しご解説いただけると幸いです。

相良：Deciphera の会社の文化とか習慣とか、そんなに古い会社ではないのですが、われわれ小野薬品と似通ったところを感じています。イノベーション、それからニッチなところに製品を届けていく。その辺りについてはよく似ていまして、うまくやっていけるのではないかと考えています。

それから相乗効果ですが、彼らがアメリカ、ヨーロッパで開発・試験を成功させた経験がある、販売を展開している実績がある、これは統合しないと、直接シナジーとして実現する部分が小さくなります。

ですから、いつか分かりませんが、状況を見ながら統合はしていきますが、当面、先ほど申したように、それぞれの子会社で取り組んでいるテーマが佳境になっているところが多いので、しばらくそのままいくということです。統合するときには大きくシナジーが出ると見ています。

橋口：大和証券橋口です。よろしく申し上げます。スイッチ・コントロール・プラットフォームがどれぐらいすごいのかをもう少しご解説いただきたいです。おそらく世の中には似たような考え方で創薬をやっている会社もあるのではないかなと思うのですが、この会社の独自性をもう少し教えていただきたいです。あと、この技術を応用できるキナーゼがどれぐらいあるのか。今までは、どちらかというと、今、相良さんもおっしゃったように、ニッチなところを中心にやってきたようですが、よりマーケットの大きいところとかでも可能性があるのか。あるいは、そういう可能性があるとしても、御社がおっしゃっているスペシャリティというところで、引き続き独自性が発揮しやすいような、あまり他社がやっていない領域を狙っていくのか。今後の展開の可能性について教えていただければと思います。

谷川：スイッチコントロールにつきましては、われわれもプラットフォームは精査が必要だと感じています。ただ一方で、彼らは今、QINLOCK と Vimseltinib の後、早期 3 製品も含めて、彼ら独自に作り出しており、非常に生産性が高いと感じています。

スイッチコントロール、ATP であったり、基質の結合部位に結合するものではないという点で、安全性が高い、選択性が高いという特徴を持っていますが、これについて、われわれも Deciphera と一緒に仕事をする中で、もっと良く知っていききたいなと思っています。

すみません、後半のご質問、もう 1 回お願いできますか。

橋口：この技術が応用できそうな標的はどれぐらいたくさんあるのですかという質問です。

滝野：それもひっくるめて、今後の検討になってまいります。ただ、今までの彼らの生み出してきた製品、あるいは製品候補のパフォーマンスを見る限りは、仮説的なところはあるとは思いますが、それなりのアウトプットができる技術プラットフォームになっているのではないかと期待のほうが強いというところではあります。

橋口：もう 1 点だけ、コストシナジーが生まれる可能性とタイミングについて確認したいです。今、それぞれのプロジェクトが佳境を迎えているので、勢いを削がないために、このままということなのか。それとも、つまりそれであれば、ある程度落ち着いてきたら、コストシナジーの発現に向けて手を入れる可能性があるのか。あるいは、両社のパイプラインで適応症のオーバーラップが出てくるまではやらない。今後の開発の成功をどの程度、どの適応症で成功してくるか次第なのか。つまり、時間はまだ分からないということなのか。どちらのほうに近いのかを教えてくださいませんか。

相良：様子を見ながら、統合、それからシナジーが出てくるというイメージを持っていますが、時期については、どのように展開していくかによって判断をしていきたいと思っています。

ただ、今、OPUS は立ち上げてからまだ間もなく、人数もまだ 100 人強です。これを 2 年後までに 180 人程度になる予定ですが、そんなにいっぱい人数を抱えているわけでもありませんので、一定のシナジーは期待していきますけれども、それをしないと、せっかく統合したのにと、いうようなところでもないかなと、今のところそういうふうに思っています。

若尾：JP モルガン証券の若尾です。よろしく申し上げます。今のご質問の続きのところ、もうちょっと明確に、ベーシックにお伺いしたいのですが、Velebru と Itolizumab に関しては、御社が独自で人を雇っていくと考えたほうがいいのか。

相良：今のところ、Velebru が順調にというか、予定を立てているところですが、MR、20 人ぐらいという見方をしていますので、自分たちでやりますけれども、そんな大きな投資ではないという状況です。

若尾：それを踏まえて、Deciphera 社に関しては、今までの固定費は今後もしばらくは続くのかなと思うのですが、R&D 費と販管費で 400 ミリオンドルくらいあると思うのですが、この水準感がしばらく続くと思っていてよいですかというのと、この会社だけ見たときの黒字化のタイミングはいつ頃とご想定されていらっしゃるのでしょうか。

相良：400 ミリオンドルの Deciphera の研究開発費ですけども、これについては、そのまま全てというようなことではなくて、しっかりと検討した上で、投資、投入していくということになります。それから、黒字化のタイミングは 2027 年を予定しています。

若尾：最後に、今回のプレミアム、7 割ほど付いているのですが、このプレミアムがついている大部分に関して、今回の資料の 19 枚目にご提示されているとおり、Vimseltinib が一番ポテンシャルが高そうですから、この薬剤を最も評価した上でのこういった評価と考えるとよろしいでしょうか。

また、ディールのクローズ前で恐縮ですが、最終的な無形資産とのれんの割合みたいなのを、イメージで結構ですので、教えていただけませんか。通常のこういった買収のケースのように、ほとんどが無形資産と考えればよろしいでしょうか。

谷川：Vimseltinib と QINLOCK は、大体同等に価値を見ています。Vimseltinib だけが大きいというわけではないのが一つです。あと、のれんなどに関しましては今、精査中ですので、今すぐにはお答えできません。今、検討中ということで答えさせていただきます。

若尾：最後もう 1 個だけ、この買収が、ほかにも相手が、競争相手がいましたでしょうか。なので、オークション形式みたいな形だったのでしょうか。それだけ教えてください。

谷川：詳細につきましては、また SEC ファイリングで確認できるかと思しますので、今われわれのほうでご説明は差し控えさせていただきたいと思います。

橋本：日経 BP の橋本です。先ほどちょっとご説明がありましたけれども、オプジーボのпатент クリフに対する本買収の意義みたいなところを確認させていただきたいです。25 ページのスライドを拝見すると、オプジーボのクリフによって減収する部分は、今回の買収によってほぼほぼ手当てができるという見通しを立てておられるように拝見するのですが、大体そんな解釈でよろしいのでしょうか。今回の買収で、オプジーボのクリフはそんなに大きな影響は出ないという理解でよろしいでしょうか。

相良：時期的には、オプジーボが 28 年にアメリカ、それから 30 年にヨーロッパ各国、31 年に日本で特許が切れていきますので、その辺りの業績の低下には、タイミング的に今回の買収の成果は出るかなと時期的に思いますけども、その前に、オプジーボのロイヤルティの低下が今年から始ま

りますし、糖尿病を中心とした製品の特許切れも 25 年、それから 26 年、28 年と段階的に進んでまいりますので、オプジーボだけに照準を合わせたということではありません。そんなふうに理解をいただきたいと思います。

橋本：そうすると、今回の買収で必ずしもその減収を避けられるわけではなくて、やはり糖尿病のこととかも考えると、若干しばらくマイナスになって、その後、今回の買収、その他の効果で業績を成長に再び乗せていくというシナリオでしょうか。

相良：その辺につきましては、5 月 9 日にお話をさせていただくこととなりますけれども、今年ぐらいいからマイナス要因が段階的に出てくるという現実ではあります。

都築：みずほ証券の都築です。今回の買収に当たって、Deciphera のところが、2022 年 11 月に大きく株価が低下してということだと思えますが、これ以降に御社が、特にこの買収に対する期待度が上がったというところなのか。もっとその前から結構検討されていたというところなのか。この辺りのお考えというか、背景のところを最後お聞かせいただけたらと思いました。

谷川：Deciphera とは、以前より、われわれの普通の事業開発活動の中で、ずっと一つの可能性のある会社として追ってまいりました。その後、引き続き先方とさまざまな意味で、お話を継続させていただいている中で、今回 QINLOCK のセカンドラインの特殊遺伝子変異の試験を始めたこと、Vimseltinib の P3 試験が成功したというのが大きなきっかけになるかと考えています。

都築：ありがとうございました。承知しました。

井村：お時間となりましたので、以上で説明会を終了させていただきたいと思います。