

2006年度年次報告書

Celgeneの誓い

世界中の患者さんがより良い生活
を送れるために専心します



私たちの誓い

私たちCelgene社は医学の進歩への貢献を誓います。同時に、この誓いは、患者さんが私たちの研究開発の成果を確実に享受できる機会があってこそ達成されるものと考えています。

この誓いを果たすために、私たちが行っている数々の活動には次のようなものがあります。

2006年、Celgene製品を使用している患者さんへの窓口となることを目的とした患者支援コーディネーター(Patient Support Coordinator: PSCSM)プログラムを創設しました。患者支援コーディネーターは、患者さんおよび医療関係者に対し、煩雑な薬剤の入手や償還手続きをサポートし、自己負担金支払いに関する情報を提供し、Celgene製品に関する質問に回答します。

また、同じく2006年には、患者支援ソリューション (PATIENT SUPPORT SOLUTIONS) プログラムを拡大しました。このプログラムでは、助けを必要としている人に対し、保険の適用確認と自己負担金の援助を行い、保険適用とならない場合には、REVLIMID®もしくはTHALOMID®を無償提供しています。

メディケアのパートD プログラムで必要とされる自己負担金の支払いが不可能な多発性骨髄腫 (MM) および骨髄異形成症候群 (MDS) の患者さんを支援する目的で、Celgeneは自己負担金に関する501(c) (3) 適用非営利財団に多大な貢献をしています。これらの財団に対する支援を通じ、多くの患者さんが生活や生命を改善する治療を受けることが可能となっています。

THALOMIDを上市して以来、Celgeneでは15%を超えるTHALOMIDをこの治療薬を必要としている患者さんに無償提供してきました。市場リーダーとしてのこのような取り組みは、患者さんがCelgeneの画期的治療薬に確実にアクセスできるようにするために私たちが継続的に行っているプログラムのひとつです。

REVLIMIDがMDS患者を対象として発売された後も、アクセス拡大プログラム (Expanded Access Program) を通して多発性骨髄腫患者に対する無償提供を継続しています。

2001年から2006年にかけてCelgeneでは不治または消耗性疾患における医学的なアンメットニーズ (確立された治療方法がない医療ニーズ) に対する治療薬の研究開発費として、収益の平均40%を投資してきました。PhRMA (米国研究製薬工業協会) によると、医薬品業界における研究開発投資は収益の17%が平均です。

2006年にCelgeneはREVLIMIDとTHALOMIDの臨床ベネフィットをさらに多くの患者さんが享受できるように、患者教育のための情報提供、援助などを患者支援団体へ行ってきました。

「誓いの言葉」企業としての成長と、世界中の患者さんへの専心を誓います。

医学の進歩に対する私たちの取り組みは、患者さんに対する私たちの誓いと密接に結びついています。私たちの研究開発から恩恵を得ることのできるすべての人々に、その機会が与えられるべきと考えています。この誓いは、医師だけでなく、患者さんのケアに携わる他の医療関係者の方々にも及びます。Celgeneの治療薬は、医師や医療従事者が患者さんにより質の高い医療と治療効果を提供する手助けとなっています。

Celgeneの社員は、そのような誓いを果たすために日々努力を重ねています。このような企業全体での取り組みの一例として、過去5年間に私たちは収益の平均約40%を研究開発に費やしてきたという事実があります。これは、この業界の平均の2倍を上回る数字です。しかし、私たちにとっては、このような献身的努力こそがCelgeneにとって最も重要なことなのです。それはCelgeneのパイプライン自体がこの「誓い」そのものであると信じているからです。私たちの誓いは大きな可能性を象徴しているだけでなく、世界中で不治の血液がんやその他の疾病に苦しむ何十万人もの人々にとって、新たな可能性、そして新しい希望を象徴しています。

Celgeneはそのような人々のために、医学の最先端で研究に携わっており、治療に関する大きな可能性を秘めた多様な生物活性を解明しています。

私たちの誓いは世界規模で取り組みが行われています。患者さんへの専心は世界中に広がっています。ヨーロッパ、アジア、オーストラリア、およびカナダで進行中または計画中の取り組み、ならびにこのほどスイスの製造施設において医薬品製造品質管理基準（Good Manufacturing Practices: GMP）の認定を受けたことにより、当社は世界的に統合され、文化の多様性を有するバイオ医薬品企業として台頭を遂げつつあります。その結果、当社の企業としての成長は、医学の追究・発展に見合ったものとなっています。

私たちの方針

CELGENE	誓約
	画期的治療薬
	患者の支援
	安全性
	革新的な科学技術
	世界的な変革

CELGENEの製品パイプライン

	Preclinical	Phase I	Phase II	Phase III	Regulatory Filing and Approval/ *FDA Registered
IMiDs® Compounds					
REVLIMID®: Multiple Myeloma (US)					
REVLIMID: MDS deletion 5q (US)					
REVLIMID: Multiple Myeloma (EMEA)					
REVLIMID: MDS deletion 5q (EMEA)					
REVLIMID: Multiple Myeloma (SWISS)					
REVLIMID: MDS deletion 5q (SWISS)					
REVLIMID: MDS					
REVLIMID: CLL					
REVLIMID: NHL					
REVLIMID: Solid Tumors					
CC-4047: Myelofibrosis					
CC-4047: Multiple Myeloma					
CC-4047: Solid Tumors					
CC-11006: Inflammatory/ Immunological					
CC-10015: Inflammatory					
CC-13097: Pain					
CC-15965: Inflammatory					
THALOMID®					
Multiple Myeloma					
ENL					
ALKERAN®					
Multiple Myeloma/ Ovarian Cancer					
Ritalin®/FOCALIN™					
FOCALIN: ADHD					
Ritalin LA®: ADHD					
FOCALIN XR™: ADHD					
Anti-Inflammatory					
CC-10004: Psoriasis					
CC-10004: Psoriatic Arthritis					
CC-11050: Inflammatory					
Benzopyranes					
CC-02217113: Cancer					
CC-8490: Cancer					
Kinase Inhibitors					
JNK 401: Acute Myelogenous Leukemia					
JNK 930: Fibrotic Diseases					
Ligase Inhibitors					
E2 Ligase Inhibitor: Cancer					
Stem Cells and Tissue Products					
Lifebank USA: Private Stem Cell Banking					
HPP: Transplants					
PDA-001: Autoimmune/Cancer					
BIOVANCE™ and Acelagraft™*					

誓約

私たちは、より多くの疾患修飾薬を、その薬剤を必要としている患者の皆さんに提供することに専心します

Celgeneは癌や炎症性疾患などの多岐にわたる消耗性の疾患や障害で苦しむ世界中の多くの患者さんを救うために尽力しています。

当社の多岐にわたる充実した新規化合物パイプラインは、全く新しいクラスの疾患修飾薬を発見、開発、供給しようとする私たちのゆるぎない取り組みを反映しています。多くのクラスの小分子治療薬に代表されるこれらの化合物は、血液癌や固形癌、その他の慢性消耗性疾患などの疾患の経過を変更するようにデザインされています。

これらの化合物は、複数の作用機序や細胞内経路に関与する遺伝子および蛋白質の選択的な制御によって、上述の機能を果たしています。

当社の技術革新への取り組みにより、新規化合物の充実したパイプラインが生まれ、これにより向こう数年間にわたる画期的新薬の発見、開発、提供が約束されています。

最終的には、ほとんどの疾患が治療可能となる世界を私たちは思い描いています。そのような世界が実現するまで、私たちは癌をはじめとする疾患を管理可能な慢性疾患に変える努力を続けて参ります。



Sol J. Barer, Ph.D
会長兼最高経営
責任者

株主の皆様へ

2006年もCelgeneにとって目覚ましい業績を収めた一年であったことを謹んでご報告いたします。

販売面、規制関連、および国際的展開における当社の業績により、4年間連続で過去最高の収益を収め、強固なキャッシュフローと収益性の向上を実現することができました。また、2種類の薬剤の承認を得て、3項目の追加適応に対する3種類の薬剤を上市し、多数の試験を行い、査読付論文41報について肯定的な評価を得ました。さらに、当社の海外事業は約35カ国に拡大しました。優れた営業、臨床、研究チームの目覚ましい働きにより、私たちは多くの領域、特に世界中の患者さんの生活や生命を改善する可能性を秘めた画期的経口薬を研究、開発、および製品化するというCelgene全社の取り組みにおいて素晴らしい進歩を続けています。

私たちのセールス・マーケティングチームは、7カ月間で3製品の上市を成功させ、REVLIMID®の発売によって血液および腫瘍治療薬の領域において、上市初年度における過去最高の収益を上げました。査読付論文誌および世界中の学会で発表された臨床データにより、当社の画期的な経口癌治療薬は世界の医学界にますます受け入れられるようになり、より多くの医療関係者が患者さんに対して質の高いアウトカムを提供できるようになっています。

臨床領域では、REVLIMIDが多発性骨髄腫の治療歴を有する患者さんに対して承認を取得し、THALOMID®は多発性骨髄腫の新規診断患者に対して承認されました。また、米国では3種類の新薬治験許可申請 (IND)

を提出する一方で、世界各国での規制当局への許可申請を進めてきました。

研究への多大な取り組みの結果、一連の新たな強力免疫調整薬を発見し、複数の有望な新薬を前臨床試験に進め、当社の先駆的研究である胎盤由来幹細胞の研究を加速させました。

海外では、世界的インフラの構築をさらに推し進め、国際的に通用する優秀な人材を採用し、カナダ、オーストラリア、および日本のみならずヨーロッパ全域において事業活動を開始しました。

また財務面でも大きな進歩を成し遂げました。2006年の素晴らしい財務成績は、過去最高の売上と利益によるものです。この年の総収益は過去最高の約9億ドルに達し、2005年に対して67%増となりました。2006年の調整後純利益は約2億1千万ドルでした。

これらの成果は、REVLIMIDに対する急速な需要の伸びとTHALOMIDの売上の増加によります。2006年のREVLIMIDの総売上は3億2100万ドルに達し、THALOMIDの総売上は4億3300万ドルになり、2005年の3億8800万ドルを上回りました。



Robert J. Hugin
社長兼最高業務執行
責任者

THALOMIDの売上は、米国食品薬品局 (FDA)より新規多発性骨髄腫患者の治療薬として承認を得たために増加しました。THALOMIDは過去40年の歴史において、FDAより骨髄腫の認可を受けた最初の経口薬剤となります。

FOCALIN™ およびRitalin®製品群による収益の合計は、ほぼ7千5百万ドルとなり、41%を超える増加となりました。ALKERAN®の売上は5千万ドルになり、こちらも2005年の売り上げから著しく増加しました。

このような目覚ましい成果は、最終利益と経費の適切なバランスにより達成できたと考えています。これらの経費は米国内におけるREVLIMID®フランチャイズ構築のために、また、2007年に予定されている米国外での主要マーケットでの上市に備える費用に充てられました。

2006年、CelgeneはS&P500インデックスにリストされました。これにより、10億ドルの増資を行うという、またとない機会を得ることができました。この増資はバイオテクノロジー企業の追加増資で増資による収入が社内に留保されるものとしては史上最大です。このような成功により、2006年末には現金約20億ドルを得て、財務面で柔軟に長期成長戦略を実行することが可能となりました。

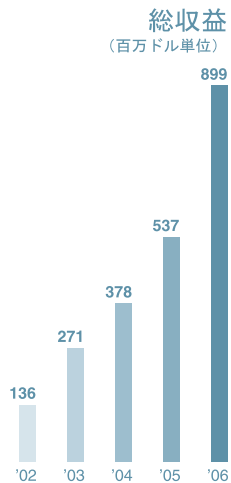
私たち二人は2006年に新しいリーダーに就任いたしました。(Sol J. Barer, Ph.D.は5月に最高経営責任者(CEO)に任命され、2007年の初めには取締役会会長に選任されました。Robert J. Huginは社長兼最高業務執行責任者(COO)に任命されました。)さらに、David W. Gryskaは最高財務責任者(CFO)、

Thomas O. Daniel, M.D.は新しく設けられた研究所の役員に就任しました。卓越した既存の経営陣に加え、これら新たな経営陣の加入は、Celgeneをバイオ医薬品分野における世界に通用する一流企業へ発展させる上で大きな力になるでしょう。

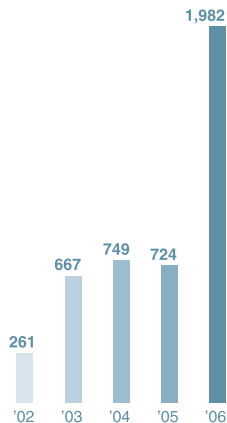
何にもまして、2006年はREVLIMIDの年であったと言えます。REVLIMIDは、IMiDs®化合物のライン拡大の主たる原動力です。IMiDsパイプラインには、血液癌や固形癌から神経疾患や炎症性疾患に至るまで、多数のアンメットニーズに対応でき得る大きな可能性を秘めています。

2006年初めには、5q欠失を単独または他の細胞遺伝学的異常を伴う低リスクあるいは中等度-1リスクの骨髄異形成症候群(MDS)を原因とする輸血依存性貧血患者の治療薬としてREVLIMIDを上市しました。2006年の半ばには、REVLIMIDは治療歴を有する多発性骨髄腫患者に対するデキサメタゾンとの経口併用療法薬として第2の適応承認を得て販売が開始されました。その後6カ月もしないうちに、主要な学会において比類の臨床データが発表された結果として、権威あるNCCN(National Comprehensive Cancer Network:米国包括癌センターネットワーク)から、REVLIMIDは多発性骨髄腫の新規診断患者および治療歴を有する患者の両方への推奨を受けました。

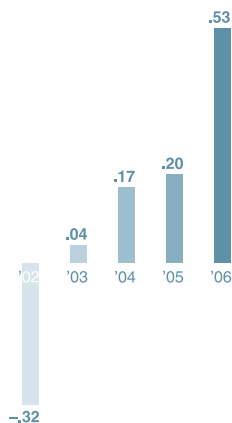
確かに目覚ましい業績です。しかし、CelgeneとREVLIMIDにとって、これは単なるスタートにすぎないと考えています。血液疾患をはじめとする一連の適応におけるREVLIMID®の臨床上の最大の可能性を私たちは探究していく所存です。既に数多くの試験が進行中



現金および現金等価物
(百万ドル単位)



1株当たり利益
(ドル単位)



で、REVLIMIDの臨床開発は、世界中で75件を超える試験が継続中または2007年中に開始予定となっています。

REVLIMIDの世界規模のビジネスポテンシャルを最大化するために、海外において販売イニシアチブを取るだけでなく規制当局への申請活動を地域レベルで支援し、国際的な価格設定、償還、および製品流通に対する承認を得るための効率的なグローバル・インフラを構築しています。2006年には、スイスのZofingenに活性製薬成分の製造施設を確保しました。この施設によって、世界の需要に見合った製品製造能力を拡大し、戦略的な生産管理を強化することができます。

欧州医薬品審査庁(European Agency for the Evaluation of Medicinal Products: EMEA)が、1回以上の治療歴を有する多発性骨髄腫患者に対する治療薬としてREVLIMIDの販売承認申請に肯定的な意見を示したことを受け、REVLIMIDに対しヨーロッパの規制当局から承認を得る計画を遂行中です。この計画から、欧州連合(EU)約30カ国における上市に向けた活動が始動する予定です。EUでの承認申請に加え、2006年にはスイス、カナダ、オーストラリアでも申請を行いました。2009年には日本でも申請を予定しています。

規制当局への申請活動の計画立案に向けて、この独自開発の化合物クラスの活性を解明する戦略の一環として、CC-4047、CC-11006、CC-10015などのIMiDs®化合物に加え、腫瘍壊死因子 α (TNF- α)を阻害する有望な経口薬を、乾癬や乾癬性関節炎などの炎症性疾患に関するフェーズII臨床試験に進めました。2007年には新たなINDを提出し、今後18ヵ月以内に胎盤由来幹細胞の臨床試験実施を見込んでいます。

Celgeneでは、世界における主導的な血液および癌領域のフランチャイズを確立するために努力しています。医学の進歩に対するこのような取り組みは、対象となる患者さんが当社の画期的経口薬の臨床ベネフィットを確実に享受できるようにした上で行っています。

REVLIMIDには、消耗性疾患で苦しむ世界中の何十万人という患者さんの生活や生命を劇的に変える可能性がある、私たちは固く信じています。当社の革新的かつ豊富でユニークなパイプラインの拡充に加え、私たちの高い専門性と日々の献身は、セルジーン社としての誓いおよび可能性を更に推し進め、世界中のアンメット・メディカル・ニーズに添えていけるものと確信しています。

Sol J. Barer, Ph.D
会長兼最高経営責任者

Robert J. Hugin
社長兼最高業務執行責任者



PAUL NICHOLS
英国生まれの熱心なマラソンランナーであるPaul Nicholsは時間と競争していました。彼は、2002年に多発性骨髄腫と診断されて3度の幹細胞移植を受けました。しかし、3年後に脚に痛みを伴う疲労骨折を負った際に再発を知りました。「マラソンをやっているのです、肉体的な困難には慣れています。でもこの時は、本当に時計が時を刻んでいる音が聞こえてきました」と彼は述べ

ています。2006年に主治医は彼をREVLIMID®の治験に参加させることができました。主治医が言った通り寛解を得ただけでなく、かつて広告会社の役員であった59歳の彼は、マラソンを再開し、自身が主宰する慈善団体Team Continuumを率いるまでになりました。この団体は何百万ドルもの資金を集め、多発性骨髄腫の患者さんとその家族に経済面だけでなく、何にも代えがたい希望を与えています。

「もう一度あのゴール・ラインを踏んでみせる、と自分自身に誓っています。」



「庭の水まきは、以前は面倒な家事でした。今では大好きなことのひとつになりました。」

LIVIA BEBING

食料品の買い物。犬の散歩。リビングルームに掃除機をかけること。Livia Bebingにとって、これらは今でも家事であることに変わりはありません。しかし、今は彼女にとってこのような家事の1つ1つが新しい喜びなのです。以前からそうであったわけではありません。実際のところ、彼女が骨髄異形成症候群と診断された時は、食料品店で買い物したり、コッカーズパニエルのルイスを散歩に連れて行ったり、洗濯するといった簡単なことさえ耐え難

い重労働だったのです。この病気のために酸素を運ぶ赤血球が奪われてしまい、生活の中のささいな動作がほとんど不可能になってしまいました。しかし2004年7月にREVLIMID®治験に参加して以来、生きるための新たな活力が湧いてきたといいます。「REVLIMIDのおかげで私の人生を取り戻すことができました。今では、料理やガーデニング、そしてルイスとの散歩を楽しめるようになりました。ヨーロッパとオーストラリアにもまた旅行できるようになったんです」と彼女は語ってくれました。



画期的治療法

症状ではなく原因を標的とすることにより、 疾患の経過を変えていきます

当社の画期的な経口薬は、造血器腫瘍やその他の難病に苦しむ患者さんにより優れた臨床成績をもたらします。Celgeneでの私たちの使命は、患者さんに対しより良い治療効果を与え、医療資源への負担軽減に役立つような画期的な疾患修飾薬を開発することです。

私たちが独自開発した薬剤クラスである新規免疫調節薬のIMiDs®化合物は、単に症状だけでなく、疾患の根本的な原因を治療します。これらの化合物は、複数の作用機序によって効果を発揮します。REVLIMID®などのIMiDs化合物は、癌細胞の増殖力を阻害し、患者さん自身の免疫応答の強化を助長することによって、例えば骨髄など癌細胞が存在する微小環境をこれらの細胞にとって存在に適さないものに変える働きをします。IMiDs化合物は、疾患の根本原因を標的とすることで、特定の癌の増殖や再生能力を遅らせたり、止めたりすることができます。

研究者は、IMiDs化合物は多発性骨髄腫細胞の成長を押さえ、かつ、骨髄腫細胞の減少速度を速めると報告しています。また、IMiDs化合物は、多発性骨髄腫細胞の骨髄細胞への付着を阻止します。また、研究者は、IMiDs化合物は免疫系の中のT細胞を

刺激する可能性があるとも報告しています。T細胞が刺激されると、多発性骨髄腫細胞を殺すナチュラルキラー細胞が活性化されます。

REVLIMIDなどのIMiDs化合物のもたらす臨床ベネフィットはこれだけに止まりません。というのも、REVLIMIDは経口薬であり、自宅での服用が可能なことから、患者は病院や診療所で輸血のために貴重な時間を割く必要がなくなり、自分の時間を取り戻すことができます。遺伝的に誘発された血球障害を特徴とする骨髄障害である5q欠失異常を伴う骨髄異形成症候群(MDS)患者の3分の2は、REVLIMIDの服用により、時間がかかり、体力を消耗し、その上侵襲的な輸血治療の必要がなくなったことが臨床研究により明らかになりました。さらに、細胞遺伝学的異常を有する患者の半数以上において、REVLIMIDによる治療が患者の骨髄の遺伝学的異常細胞を消失させました。

私たちは、REVLIMID®には血液がんの治療に大きな変革をもたらす可能性があると信じています。



また、REVLIMIDは、再発性または難治性の多発性骨髄腫治療に対する併用療法薬（ステロイド剤のデキサメタゾンと併用）としても承認されています。多発性骨髄腫は血液がんの一種で、免疫系の重要な要素である骨髄中の形質細胞が無秩序に増殖し、正常な血液細胞を押し出し、適正な形成を阻害してしまいます。多発性骨髄腫は血液がんの中でも2番目に多い疾患で、国際骨髄腫財団（International Myeloma Foundation：IMF）の報告によると、世界で75万人を超える人々が罹患しています。

米国血液学会（American Society of Hematology：ASH）の2006年年次総会において、Celgeneの製品をテーマとしたアブストラクトやプレゼンテーションが130件以上もありました。1つの企業の製品がこのような多くの注目を集めることは大変珍しいことです。

2007年5月には、イタリアのフィレンツェで第9回骨髄異形成症候群の国際シンポジウムが開催され、REVLIMIDの有効性をさらに裏付けるデータが発表されました。このデータによると、REVLIMIDには5q欠失を伴う患者に対する長期的な延命効果と疾患の進行予防効果があることが明らかになりました。多数の症例において、MDS患者が数年にわたって輸血なしの生活を送るのに経口薬療法が役立つということが報告されました。さらに重要なこととして、細胞遺伝学的寛解患者の87%で有意に延命するということが、この

データによって証明されました。これらの結果やその他の研究結果も期待の持てるものであり、私たちはこれらのエビデンスに基づきMDSにおけるREVLIMIDフランチाइズを拡大していく予定です。

2007年6月の米国臨床腫瘍学会（American Society of Clinical Oncology：ASCO）において、Eastern Cooperative Oncology Group（ECOG）が大規模無作為化二重盲検フェーズIII試験を行い、重要な臨床的発見をしたことを発表しました。この研究は、多発性骨髄腫の新規診断患者に対するREVLIMIDの安全性および有効性を評価する目的で計画されました。研究者らは、この研究において低用量のデキサメタゾンとREVLIMID（REVLDEXと呼ばれる組み合わせ）を投与した患者の1年生存率が96%であったのに対し、標準用量を投与した患者の1年生存率は86%であったと発表しました。さらにREVLDEXに関連した副作用が少ないことが報告されています。

この研究の所見に基づき、国際骨髄腫財団は、追加的研究の実施について議論するために骨髄腫に関する世界的研究者を対象とした会議を開催しました。IMFによると、これらの新規研究では、経口薬療法開始前に幹細胞移植を薦めなくても、REVLDEXまたはREVLIMIDの併用療法が有効となるか否かが評価される予定です。

REVLIMID®パイプライン

	前臨床	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3	承認申請/上市
REVLIMID					
多発性骨髄腫					
5q欠失MDS					
骨髄異形成症候群					
慢性リンパ性白血病					
非ホジキンリンパ腫					
骨髄線維症					
アミロイドーシス					
卵巣癌					
非小細胞肺癌					
腎臓癌					
前立腺癌					

REVLIMIDの評価を目的として、現在、世界中で75を超える臨床試験が血液癌から固形癌にいたるまでの様々な疾患に対して進行中です。

さらに、REVLIMIDは、慢性リンパ性白血病(CLL)や非ホジキンリンパ腫などの多くの血液関係の疾患に大きな可能性を示し続けています。CLLにおいては、強力な前治療に奏功しなかった患者に対してさえ、REVLIMIDは単剤療法として有望な結果を示しています。さらに、REVLIMIDは、CLLの治療薬として米国食品薬品局(FDA)からオーファンドラッグの指定を受けています。

上市一年目にして既に米国の血液がん領域において歴史的に最も成功した新薬として認知されているREVLIMIDは、血液がん治療を根本的に変え得る可能性があるものと私たちは考えています。2007年には何十もの臨床試験が計画または進行中であり、私たちはこのような不治の疾患に対して、REVLIMIDのあらゆる可能性を追究すべく努力しています。

また、当社のもう1つの重要な経口薬であるTHALOMID®(サリドマイド)も、当社の広範囲な患者支援サービスやリスク管理プログラム、および多くの研究開発のための資金調達に引き続き役立っています。

THALOMIDはハンセン病に関連した炎症疾患の治療薬として1998年に初めてFDAの承認を得ました。

REVLIMIDと同様にTHALOMIDも経口投与されます。2006年5月、FDAは多発性骨髄腫の新規診断患者に対する治療薬としての当社のTHALOMIDとデキサメタゾンの併

用に関する適応追加申請(sNDA)に承認を与えました。

これらの目覚ましい進捗は、Celgeneの更なる将来への序曲であると私たちは考えています。10年に及ぶ研究に基づき、各IMiD™化合物の分子構造を変えることにより、疾患の経過を変えるために必要な特定の臨床特性および生物学的特性に取り組む機会を得ることができました。例えば、当社が開発中の新規化合物であるCC-4047(ボマリドマイド)は、ある種の血液癌や固形癌に対して効果的である可能性があります。また、骨髄腫患者の方々への大変有効な治療法となっていくことでしょう。

例えば、当社の次世代IMiD™化合物であるCC-10015は、血液脳関門を通過し、中枢神経系の炎症性疾患および悪性腫瘍の治療に奏効する可能性があります。

当社は、新たに画期的治療薬となり得る化合物ライブラリーを拡充させるため、多くの優秀な人材と資源の投入に努力を惜しみません。



MIKE HORAN

2006年1月、37歳のMike Horanは脊椎の圧迫骨折の痛みで苦しんでいました。夫であり、3歳と1歳の2人の息子の父親でもある彼に、医師は多発性骨髄腫であると告げました。Mayo Clinicで臨床試験の一環としてREVLIMID®療法を4か月間受けた後に幹細胞移植を行った結果、今では彼が疾患を患っているという臨床

的証拠は認められなくなったと医師は述べています。「REVLIMIDは腫瘍自体を小さくすることに大変効果的であっただけでなく、私自身が移植を受けることも可能にしてくれました。勿論、それだけではありません。息子たちとまた遊べるようになったのです。これ以上嬉しいプレゼントはありませんよ。」と38歳になったマイクさんは語っています。



「今では子供たちが泥だらけになって家に帰ってくるのを見て、笑うことができます。」



患者支援コーディネーター
(Patient Support Coordinator:
PSCSM) プログラムでは、専門ス
タッフが、支援を必要とする患者と
医療提供者の両方に対し、償還
や製品に関連した支援サービス
面の調整を行っています。

患者の支援

私たちの最優先事項は患者さんです。患者さんが当社の画期的治療薬の臨床ベネフィットを享受できるよう幅広いアクセスを確保したいと考えています。

癌の予防や発見、治療の進歩によるベネフィットをすべての患者さんが享受できるようにすべきであると私たちは考えています。さらに、対象となる患者の皆さんに当社の画期的治療薬の情報や支援、アクセス方法を提供するために計画された業界でも先駆的なプログラムでこの方針を支援しています。

そのようなプログラムの一例がRevAssist[®]です。このプログラムではREVLIMID[®]が指定薬局で入手できるようになっています。このような薬局は、REVLIMIDの処方箋調剤を行う契約を結んでおり、患者に対しREVLIMIDのベネフィットや起こり得る副作用を説明し、保険適応に関する質問について患者さんと医師の両方を支援しています。

Celgeneは独立第三者機関と緊密に協力し経済的な支援を行っています。これらの機関は経口抗腫瘍薬を処方されている患者に対し金銭的支援を行うための資金を提供しているのです。

この取り組みの一環として、患者支援コーディネーター(Patient Support Coordinator: PSC)プログラムを創設しました。患者支援コ

ーディネーターは、薬剤の入手法や保険償還規則といった複雑な事項を分かりやすく説明し、患者と医療関係者の両方を支援しています。また、患者に対し自己負担金支援の情報を提供し、Celgene製品についての質問に回答しています。さらに、Celgeneでは、処方支援のためのパートナーシップ(Partnership for Prescription Assistance)による支援も行っています。これは、処方箋が保険適用されず、切実に必要とされている治療を受ける金銭的余裕がない患者を支援するために米国研究製薬工業協会(Pharmaceutical Research and Manufacturers Association of America: PhRMA)が策定したプログラムです。

無償で製品を入手する基準から漏れてしまった患者さんに対しては、当社のPSCプログラムを通じて、処方箋薬に対する自己負担金の支払い能力がない患者のための州による支援プログラムや非営利基金を紹介しています。さらに、Celgeneは、独立した自己負担金支援プログラムを運営する基金への資金援助も行っています。



MICHELLE RHODAN

Michelle Rhodanは「多発性骨髄腫と診断されることは人生を大きく変えるような出来事です、それにも案外慣れてしまうものです。」と語っています。彼女は40℃の発熱が4ヵ月半にわたって続いた後、2003年8月に多発性骨髄腫と診断されました。このとき主治医は生存率は50%であると告げました。16歳の息子と14歳の娘の母親である彼女は、その後Celgene S.T.E.P.S.®プログラムを

介して投与されたTHALOMID®経口薬療法を約4年間続け、今では痛みがなくなっただけではなく、本当に充実した生活を送っていると述べています。「今では全く新しい視点でものごとを見ることができるようになりました。毎日ユーモアを忘れず、謙虚な気持ちで、前向きに暮らしています。そして、子供達から抱きしめられるたびに、私の人生は変わっていくんだと実感しています。」

「以前は娘が髪を染める度に、本当に頭に来ていました。でも、今では私も一緒になって髪を染めています。」



RevAssistの処方
医師は
9,000人

RevAssist®は、REVLIMID®の
簡便な入手方法を提供するだけ
でなく、安全性に関する重要な
情報も患者さんに提供しています。

15万人の
患者

CelgeneのS.T.E.P.S.®プログラ
ムは、特許を取得し、かつ
FDAの承認を得た、初めての
リスク管理薬剤販売プログラム
です。

安全性

患者さんの安全なアクセスを最大限確保していきます

私たちは、画期的な新薬を、必要とする患者さんに提供し有効な臨床ベネフィットを享受してもらうだけでなく、安全性の確保にも同時に取り組んでいます。

2005年にCelgeneはREVLIMIDへの安全かつ簡便なアクセスに関する重要情報を提供するためにRevAssistプログラムを創設しました。RevAssistプログラムにおいては、REVLIMIDは契約薬局でのみ調剤されます。契約薬局では、訓練を受けた看護師と薬剤師が、調剤を行う前に起こり得る副作用等について患者さんへの教育を行います。今日では、RevAssistの販売システムに9,000人を超える医師が処方可能な医師として登録されています。

私たちのRevAssistプログラムはサリドマイド用に構築された専用の画期的な安全性管理システム(System for Thalidomide Education and Prescribing Safety: S.T.E.P.S.サリドマイドに関する教育及び処方管理システム)からの経験に基づいて創設されました。S.T.E.P.S.は、管理薬剤販売プログラムとして、初めて特許を取得し、FDAの認可を受けた安全性管理システムです。

S.T.E.P.S.は1998年に始動以来、15万人を超える生命に関わる消耗性疾患の患者に対し、THALOMID®による治療ベネフィットの提供を支援してきました。このプログラムは、患者の安全性と薬剤へのアクセスに関し、最も広く認知された業界の先駆的プログラムの1つにもなっています。

S.T.E.P.S.とRevAssistは、当社が長年にわたり築いてきた、政府、支援団体、および業界パートナーとの協同関係を反映しています。また、これらのプログラムには、当社の画期的薬剤への患者のアクセスと安全かつ適切な調剤という2点に関する私たちの取り組みが反映されています。私たちの取り組みは、重要な治療ベネフィットと重篤な副作用の可能性を有する治療薬を製造する他社にも及びます。私たちは、当社の画期的なS.T.E.P.S.プログラムに関わる広範囲にわたる特許ポートフォリオと知的所有権を適切な条件の下で利用を許可する意思があることを、FDAや他社に対して表明してきました。これにより、リスク管理プログラムを有する治療薬製造企業は、当社の特許取得済み技術によるベネフィットが利用できるようになります。

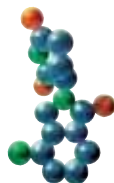
「夫と友人たちに、もっとたくさんのケーキを焼いてあげようと決意しました。」



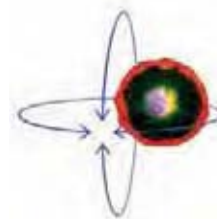
LAURA WILLIAMS

放射線技師の職を退職し、フィラデルフィア在住のLaura Williamsは「以前は些細なことにいちいち感謝するような時間的余裕はありませんでした。」と語っています。2002年1月に多発性骨髄腫であると診断されるまで、彼女は地元の病院とホスピスケアのプログラムでボランティアをしていました。「REVLIMID®による治療を始める前につま先にニューロパシー（神経の損傷）を発症したのです。そのため歩

くことが困難でよくバランスを崩していました。そして以前のように頻繁にボランティア活動に参加することができなくなりました。ある時からすべてのことを諦めざるを得なくなったのです。」REVLIMIDの服用を始めて以来、彼女は前よりも楽に歩けるようになり、ボランティア活動に復帰しました。さらに、夫と一緒にヒューストンの曾孫に初めて会いに行く予定も立てています。「今では毎日感謝の気持ちでいっぱいです」と彼女は語っています。



REVLIMID®などのIMiDs®化合物には、疾患の症状ではなく原因を標的とした複数の作用機序があります。



CelgeneのIMiDs化合物は、癌細胞の増殖力を阻害し、患者の免疫応答を強化し、侵入しようとする細胞の存在に適さない微小環境を作ります。また、今後も、それ以外の様々な作用機序が解明されていくと考えています。

革新的な科学技術

次世代の治療薬が、より良い医療のために 質の高いアウトカムをもたらします

Celgeneは、バイオ医薬品業界の中でも最強のパイプラインを構築するために、日々研究開発に努めて参ります。私たちの意欲や、科学的発見に対する心からの誓いは、私たちが重視している疾患や症状は、時として生命に関わるものあったり、慢性的で消耗性のものであるという事実から生まれています。蛋白質や遺伝子の調節および免疫調節に対する画期的なアプローチは、患者の生活や生命にベネフィットをもたらす治療薬につながるものと信じています。

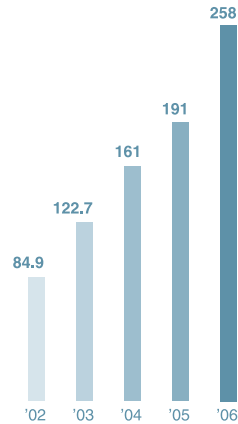
私たちが研究開発の対象としている血液癌、固形癌、および消耗性炎症性疾患などの病態・病理を生物学的に解明していく努力を継続的に行っていきます。また、画期的な治療プログラムにあらゆる研究を組み合わせ、疾患や症状と闘い続けています。私たちが行っている研究は、複数の作用機序と細胞内

経路を通してこれらの疾患の原因を攻撃するものです。

当社のIMiDs化合物ポートフォリオは、REVLIMIDだけでなく、その他の何百という免疫調整化合物にも及んでいます。現在最も有望なCC-4047とCC-11006の2つは、ヒトを対象とした試験を行っているところです。CC-4047は経口投与用の小分子化合物であり、私たちが開発しているIMiDs化合物の中でも最も強力な化合物の1つです。骨髄線維症、多発性骨髄腫、その他の血液癌や固形癌に対する治療薬となり得る可能性について、この化合物の安全性と有効性を確認するため、現在フェーズII試験を行っています。CC-11006は、今日ではその大半が治療不可能とされている血液がんと慢性炎症性疾患に対する治療薬としての可能性が期待されている経口薬です。

革新的な科学技術

研究開発費
(百万ドル単位)



IMiDs®化合物が標的とする細胞および分子のメカニズムについてさらに研究を進めており、新たな臨床適応および販売のための承認申請につながることを期待されています。

これらのIMiDs化合物に関する誓いを実現するために努力を続ける一方で、当社の科学者たちはIMiDs化合物が標的とする細胞および分子の正確なメカニズムに関する知見を深めています。この研究により、IMiDs化合物の生物学的理解がさらに深まり、新たな臨床適応および販売に関する承認申請が行えるようになることを期待しています。

IMiDs化合物研究に加え、当社のパイプラインにはさらに5件の新薬探索プログラムがあります。その1つとして、TNF- α 阻害物質から慢性炎症性疾患の画期的経口治療薬を開発しようとする取り組みが行われています。当社のこの薬剤クラスの主要な治験薬であるCC-10004は、経口で投与可能な新規小分子薬で、様々な炎症性メディエーターの産生を阻害します。現在、中程度から重度の尋常性乾癬を含む多数の炎症性疾患における作用範囲を理解するためにCC-10004の臨床開発が進められています。

Celgeneでは、セル・シグナリング(細胞情報伝達)という注目度の高い、かつ、大きな潜在性を秘めている領域での重要な研究を行っています。細胞が環境を認識し、正しく反応する能力は、正常組織の恒常性だけでなく、細胞の発生や、組織の修復、免疫に直接影響します。細胞の情報処理における誤りは、癌や自己免疫疾患、糖尿病などの疾患の原因であると考えられています。

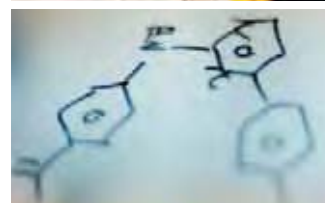
Celgeneは、この分野において効果的に他社と競い合うために、知的所有権と、有望なプログラムの両方を整備してきました。

これらの細胞情報伝達に関する可能性に加え、癌や急性炎症、T細胞媒介性疾患、および慢性炎症などの特定の疾患に利用可能なその他の数多くのキナーゼ阻害薬についても追究しています。

**Celgeneとは、人材
と理想が重んじら
れ、飛躍的な成果が**



**期待され、実際にそ
れが達成されている
企業です。**



Celgeneの科学者は、細胞内の蛋白質分解経路に焦点を当てたもう1つの興味深いプログラムも遂行しています。薬剤の標的およびユビキチンリガーゼ経路を調節する化合物の特定を行っています。目標は細胞の増殖と生存を制御することです。この研究により、抗癌薬および抗炎症薬の重要な新規薬剤クラスに到達できると考えています。

Celgeneは、複雑な疾患を制御可能な慢性疾患に変える可能性をもたらすIMiDs®化合物などの小分子や、現在は治療不可能な疾患を将来治療できる可能性を秘めた幹細胞療法の両方の研究と開発を行うことができる独自の立場にあります。

当社の幹細胞研究部門であるCelgene細胞治療薬部(Celgene Cellular Therapeutics)では、ヒトの胎盤および臍帯血由来の幹細胞を利用した研究を行っています。このような細胞は豊富に存在し、また社会的な論議

を呼ぶ懸念がなく、損傷を受けたり疾患に罹患したさまざまな組織を修復・再生する可能性を有しています。胎盤幹細胞に関する過去4年間にわたる研究から、治療的可能性のある様々な生物活性が明らかになっています。当社の科学者による主要な発見の1つに、免疫寛容にとって重要な意味を持つ細胞表面マーカーをはじめとする一連の特異性があります。

2006年5月にCelgene細胞治療薬部は、ヒトの分娩後の胎盤から様々な幹細胞を回収する際に用いる独自手法に対し初めて米国特許を取得しました。この特許により、ますます重要度が高まるこの分野における当社の知的財産が大いに強化されます。

Celgeneの科学者や研究者は、現在是不治の疾患も将来は治療可能となるような、未来の幹細胞治療薬の開発に取り組んでいます。

A large background image showing a person from the waist down, holding a brown electric guitar. The person is wearing blue jeans and a black belt with a silver chain and a round buckle. The background is a clear blue sky and a green grassy field.

「指が痛くなるまで ギターが弾けること を楽しんでいます。」



VINCENT BRIX

フランスの大西洋岸で金細工を生業としているVincent Brixは「一番楽しいことは自分の手を使って働くということです。」と語ってくれました。2002年にVincentは多発性骨髄腫と診断されました。まだ40歳だった彼は、遠洋定期船の造船企業で工業デザイナーとして働いていました。化学療法と2度の幹細胞移植から2年経過し寛解を

得ました。しかし、すぐに再発しました。積極的な化学療法を行いました。手に神経損傷が起これ、ギターを弾くことも金細工をすることもできなくなりました。しかし、主治医が化学療法からREVLIMID®による経口薬療法に切り替えてわずか数ヵ月後には、手の痛みが治まったのです。「自分の情熱が甦った」と彼は述べています。

世界的な変革

製造、臨床開発、営業活動における可能性

REVLIMID®、そしてCelgeneには、世界規模の可能性があると認識しています。世界中の何十万人もの患者さんが当社の経口薬を必要としているのです。

過去2年にわたり、国際的な研究や規制当局との折衝、および営業力を拡大・強化する目標に向かって、私たちは強い決意とともに前進してきました。当社には、REVLIMIDや今後の当社製品の臨床ベネフィットを患者さんが受けられる方法を提供する上で、医療関係者と直接活動を共にできる独自の能力があると考えています。そこで、私たちは、まず手始めにREVLIMIDから、これらの製品を自身の手で商品化することを戦略としています。これによって、薬剤の製造や世界中の患者さんへの供給を上手くコントロールできるようになります。

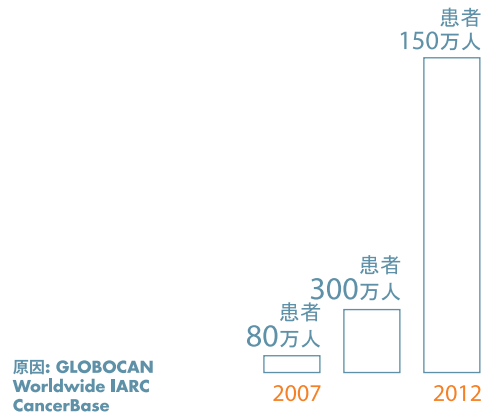
Celgeneは世界的に統合され、文化の多様性を有するバイオ医薬品企業として台頭し続けています。現在事業を展開している国の数はほぼ40カ国に上ります。世界中で

REVLIMIDの臨床面と営業面の両方の可能性を最大化することで、さらにその数が増えることを期待しています。

例えば、2006年には、ヨーロッパの製薬業界とバイオテクノロジー業界の一流の人材を雇用して国際的インフラの構築を進めました。その結果、今では世界規模の研究、開発、マーケティング、販売における豊富な成功経験を有する優れたマネジメントチームを持つことができました。

また、カナダやオーストラリア、日本でも事業展開を続けています。ヨーロッパとスイスでの承認申請に対する規制当局の検討が行われていることに加え、当社の画期的治療薬について世界中で承認を得るという私たちの目的において、第4四半期にはオーストラリアにおいて骨髄腫治療薬としてのREVLIMIDの承認申請を完了しました。2007年にはカナダで初の承認申請を行いました。また、2009年には日本で初めての承認申請を行う予定です。

世界的な変革



血液がん—懸念の増大

世界人口の高齢化や早期診断、より積極的な治療、政府および民間保険会社による好条件の保険適用によって血液がんの市場は成長しています。MDS、MM、CLL、NHLにおけるますます有望な臨床データを得て、REVLIMID®の世界的な市場規模は、患者数100万人を上回る可能性があります。

2006年に欧州医薬品審査庁(European Medicines Agency: EMEA)に対し規制関係書類の更新を行い、REVLIMIDに関する新規の著名な臨床データに基いた活動を続けました。多発性骨髄腫に対するREVLIMIDが最近承認されたことの裏付となった主要試験から、最新の生存データを提出しました。

また、細胞遺伝学的異常の5q欠失を伴う骨髄異形成症候群の治療に対するREVLIMIDの承認申請も加えました。*New England Journal of Medicine*誌上で報告された追跡期間中の生存に関する最新データは、レスポンダーの輸血非依存期間の中央値はまだ104週間に達していないことを示しています。さらに、この試験の参加者の中には、その時点で4年間も輸血非依存状態を維持していた患者もいました。

また、スイスのヌーシャテルにCelgeneのGMP適合国際製造施設が完成しました。さ

らに、スイスのツォフィンゲンに活性成分製造施設を確保しました。この施設は、複数の原薬の製造能力を有しています。世界的な製造体制の戦略的なコントロールを強化するために、まず初めに、この能力を利用してREVLIMIDを製造し、世界市場に供給することを計画しています。

当社の画期的治療薬による臨床ベネフィットをより多くの人々が享受できるよう、私たちは米国以外での薬剤入手についてイニシアチブを発揮する努力を続けてきました。多発性骨髄腫およびMDS患者の治療のためのREVLIMIDの販売許可申請をEMEAが検討している間でさえ、患者発見アクセス拡大プログラム(Name Patient and Expanded Access Programs)などの薬剤入手プログラムは既に整備されていました。これらのプログラムは、REVLIMIDを必要とするヨーロッパの多くの患者に入手方法を提供しています。

「診断を受けたときは、まさか自分が40歳の誕生日を祝えるとは思いませんでした。でも私は今こうして生きています。診断から7年経って、REVLIMIDのおかげで完全寛解を得て、気分も体調も良好です。」

– **Michael、米国**

私にとってREVLIMID®は本当に
可能な限り最高の人生を送る
– **Laureen、英国**

Per me, la soluzione del REVLIMID, questa esperienza, è totalmente positiva. Quindi sostanzialmente vivo una vita relativamente normale.

私にとってREVLIMIDに出会えたことは、本当に幸運でした。基本的にほとんど普通と変わらない生活ができるのです。

– **Adolpho、イタリア**

REVLIMID hat mir sehr viel
Hoffnung gemacht als
Medikament und
ich hoffe, dass der gute Effekt
über möglichst viele Jahre
anhält.

REVLIMIDは多くの希望を与えてくれました。このよう
な良い効果ができるだけ長く続いてくれればと思っ
ています。

– **Susanne**、ドイツ

El REVLIMID yo lo tomo en una cápsula
al día. Eso me permite realizar mi vida
normal.

REVLIMIDのカプセルを1日1個飲んでます。それだけで普通の生
活が続けられるのです。

– **Estanislao**、スペイン

大切な薬です おかげで
ことができます

Και παίρνοντας απλά αυτό το χάπι, θεωρείς ότι,
εντάξει, δεν είναι τίποτα το δύσκολο.

Παίρνω το χάπι μου και συνεχίζω τη ζωή μου.

それに、ただカプセルを飲むだけなので本
当に簡単です。カプセルを飲めば、生き続け
ることができるのです。

– **Meli Maria**、ギリシア

私の病気は治らないかもしれま
せん。でもREVLIMIDを服用してい
るおかげで、自分の幸運の数を
数えることができるのです。

– **Graeme**、オーストラリア

1 米国で上市された血液および腫瘍治療製品で最も成功を収めた製品、それは **REVLIMID®** です。

2 米国で承認を受けている薬剤は2種類。治療歴を有する多発性骨髄腫には **REVLIMID**、新規診断の多発性骨髄腫には **THALOMID®** が承認されています。

38 Celgeneが事業を展開している国は **38** カ国です。

3 米国内で成功を収めた製品は3種類: 5q欠失MDS用 **REVLIMID**、多発性骨髄腫用 **REVLIMID**、多発性骨髄腫用 **THALOMID** です。

26 米国血液学会 (American Society of Hematology: **ASH**) の第48回年次総会では、Celgene製品を評価する口頭発表が **26** 件も行われました。

40 過去5年間 Celgeneは平均して収益の約 **40%** を研究開発費に充てています。

41 ピア・レビュー公表論文は **2006** 年だけで **41** 件あります。

75 **REVLIMID** の評価のため、世界中で **75** 件の臨床試験が進行中です。

131 **ASH** の年次総会では、さまざまな種類の血液がんにおける Celgene製品に関するアブストラクトが **131** 報発表されました。

11 **2006** 年に世界中で **1100** 万人の人々が癌と闘っています。

1456 Celgeneでは **1456** 人の従業員が、世界中の患者さんの生活や生命を改善するために尽力しています。

2006 **2006** 年はCelgeneにとって目覚ましい躍進の年になりました。



1	2		3	
	4	5	6	7
8	9		10	11

経営チーム

1. **Sol J. Barer, Ph.D**
会長兼最高経営責任者
2. **Robert J. Hugin**
社長兼最高業務執行責任者
3. **David W. Gryska**
上席副社長兼最高財務責任者

取締役会

1. **Sol J. Barer, Ph.D**
会長兼最高経営責任者
2. **Robert J. Hugin**
社長兼最高業務執行責任者
4. **Jack L. Bowman**
ジョンソン・エンド・ジョンソン (Johnson & Johnson) 前グループ会長、American Cyanamid副社長
5. **Michael D. Casey**
Matrix Pharmaceutical, Inc. 元社長兼最高業務執行責任者
6. **Rodman L. Drake**
CIP管理担当常務取締役

7. **Arthur Hull Hayes, Jr., M.D. 取締役**
MediScience Associates元社長兼最高業務執行責任者
米国食品薬品局元局長

8. **Gilla Kaplan, Ph.D**
ニュージャージー医科歯科大学 (University of Medicine and Dentistry of New Jersey:UMDNJ) 公衆衛生研究センター (Public Health Research Institute Center) マイコバクテリア免疫・病原研究室 (Laboratory of Mycobacterial Immunity and Pathogenesis) 教授および正会員

9. **Richard C.E. Morgan**
Amphion Innovations PLC最高経営責任者

10. **Walter L. Robb, Ph.D**
Vantage Management Inc. 社長、ゼネラル・エレクトリック (General Electric Company) 研究開発本部担当前上席副社長

11. **James Loughlin**
KPMG取締役会年金・投資委員会元委員長





Celgene Corporation
86 Morris Avenue
Summit, NJ 07901
(908) 673-9000
www.celgene.com