



## Ambry Genetics 事業説明

第39回J.P. Morgan Healthcare Conference

2021年1月13日(水)午前7時30分

### <ご留意事項>

本スクリプトは、投資家の方々の便宜のため、参考として掲載しています。説明会でお話したこと全てをそのまま書き起こしたのではなく、当社の判断で簡潔にまとめたものであることをご了承ください。また、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おり、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があることをご了承ください。

### 発表者

Aaron Elliott (Ambry Genetics CEO)

Matt Silva (Invicro CEO)

Tom Schoenherr (Ambry Genetics CCO)

### Naoko Saito

みなさんおはようございます。カンファレンスによろこそ。日本のJ.P.モルガンで医療技術のアナリストをしているNaoko Saitoです。Aaron Elliott (Ambry Genetics CEO)、Matt Silva (Invicro CEO)、Tom Schoenherr (Ambry Genetics CCO)の3名をお迎えすることができ嬉しく思います。このカンファレンスではwebを通じて質問をすることができます。では早速3名からプレゼンテーションをお願いします。

**Aaron Elliott:**

ありがとうございます。皆さんおはようございます。今日は、Ambry Geneticsの概要を主に御説明しますが、Ambry Geneticsのみでなく、Invicro、コニカミノルタプレジジョンメディシンジャパンも含めたコニカミノルタの個別化医療の取り組み全体の説明を致します。

3枚目のスライドにあるように、コニカミノルタでは精密診断なしでは個別化医療ができないという認識を背景に事業を構成しています。この精密診断には、遺伝子診断、画像診断、病理診断の3つのコアとなる診断領域が含まれます。

現在、個別化医療はほとんどの場合でこれらの3つの診断ワークフローの1つを利用して意思決定が行われていますが、より正確な意思決定には、さらに統合されたアプローチが必要になると考えています。

例えば、コンパニオン診断用バイオマーカーが陽性であっても、標的治療に反応する場合もあれば、反応しない場合もあるのは何故でしょうか。PARP阻害薬におけるBRCA1および2変異がよい例です。われわれは現在約50%の奏効率しか得られていませんが、これはほとんどの治療の現状です。

次世代の個別化医療は、この統合的なアプローチのことを指します。遺伝子、画像、病理から得られたデータを合わせて解析することで、より正確な検査だけでなく、より良い医療上の意思決定や、最終的にはより良い分子標的薬を実現します。

これは、シーケンシングのような方法で検出できるある個人の遺伝子型の情報と、画像診断で典型的に検出される表現型として現れる情報を一本化するという概念に沿ったものです。すなわち、一方の情報が、他方の情報にも生かされるということです。

我々のグローバルな Lattice プラットフォームが、どのようにしてこれらの異なる大規模なデータセットを相関させることを可能にするかを、1分間程度で後程Tom Schoenherr がご紹介いたします。この手法を用いて遺伝性がんのスクリーニング検査を改善することが、中核事業である遺伝子検査事業を推進することにつながるという計画の一例をこのプレゼンテーションの最後にお示します。

4枚目のスライドでは、コニカミノルタの個別化医療で特徴的な点を紹介します。これは、先ほど申し上げた3つの診断領域において強力なブランドを構築し、既に収益力のある基盤ができあがっていることです。すなわち、遺伝子診断のAmbry Genetics、画像・病理診断のInvicro、そして技術・研究開発における基盤・推進力を提供するコニカミノルタです。

これらを統合すると、我々はこの最新の診断に対するアプローチを、グローバルな地域において製薬から臨床に渡る領域で生かすことができます。この施策を推進するいくつかの例をお示します。その一つはポピュレーションヘルスのプラットフォームとなる「CARE Program」の計画についてです。

5枚目のスライドは、コニカミノルタプレジジョンメディシンの概略を示しています。後程Matt Silvaが画像診断について、Tom Schoenherrが遺伝子診断について詳しくご説明します。

これらを統合し、我々は特にがん、中枢神経領域で遺伝子診断と画像診断の領域で、革新的な診断ソリューションを提供し大きな市場シェアを獲得することで世界的にプレゼンスを発揮しています。

私たちはここカリフォルニア州アリソ・ビエゴに本社を置いていますが、ボストン、ニューヘブン、ロンドン、東京に拠点があります。主要なものは、カリフォルニア州オレンジカウンティにある高度にカスタマ

イズされた65,000平方フィートの遺伝子検査ラボです。

臨床と製薬の顧客基盤は非常に多様で、約10,000人の積極的に検査オーダーを出している臨床医、200社以上の製薬企業の顧客がいます。そして我々はこの3つの核となる診断を大規模に行うことができる数少ない企業の1つです。全体では従業員が約1300名いまして、Ambry Geneticsに約800名、Invicroに約400名、日本に約100名で構成されています。

ファイナンスの側面からは、2019年度から2024年度までの臨床と製薬の売上高の内訳をこの図で示しています。会計年度は4月1日から開始しています。全体で2019年度にはおよそ3億ドルの売上高をコニカミノルタプレジジョンメディシンとして計上しました。

2020年度には売上高は前年並みになると見えています。これは、今期の最初の数カ月のパンデミックの影響によるもので、特に遺伝子診断では多くの顧客が遠隔医療に移行していたためです。現在のラボの操業率とモメンタムは非常に強く、2021年度に向けての急成長に続くことを期待しています。

どの分野でこの成長がなされるか、この円グラフで紹介します。事業は4つの主要な領域に分かれます。

我々が期待している成長で一番大きな部分を占めているのは、基盤事業の成長によるものです。マーケットの拡大もありますし、またこの分野で最高レベルのサービスである我々の+RNAinsightによる市場シェアの獲得、市場全体での追い風もありAmbryの営業チームを今年約2倍に拡大しています。

二番目の大きな成長施策は、当社のポピュレーションヘルスのプラットフォームとなる「CARE Program」です。これにより、大規模な健康管理システムを用いて、適切な検査を受けるべき患者をより

多く特定する能力が高まります。

三番目の大きな成長施策は、コニカミノルタがこのビジネスを所有していることから驚くにあたりませんが、日本へのビジネスの拡大です。日本は非常に大規模な市場です。遺伝子検査の面では、検査適用のまだ初期段階にあります。私たちはそこに長期間にわたる成長の機会を見出しています。最後に述べる成長施策としては、我々が「Lattice」と呼ぶ国際的なラボのネットワークの成長になります。

Ambryの各施策について目を向ける前に、Dr. Matt Silvaと交代し、画像診断の概要を説明してもらいます。

**Matt Silva:**

画像診断について、手短にご説明します。ご質問があれば喜んでお答えします。

Invicroは創業から約12年が経っていきまして、製薬業界向けのサービスを提供することに注力しています。中でも、臨床試験の病理と放射線画像診断を提供しています。創薬や開発に多くの専門性を持ったチームがいます。法規制に基づいた登録に必要な臨床試験や、探索段階での画像診断バイオマーカーの適用についても深い知識を持っています。

Ambryとの連携による高度なテクニカルチームと、100名以上の学術博士と医学博士が試験のデザインと実施の専門知識を提供しています。単なる技術的な組織であるだけでなく、非常に強力なプロジェクトマネジメント、品質保証、法規制対応、その他の機能を一貫して提供し、時間、予算の両面で顧客の期待以上のレベルでプロジェクトを完遂できるように体制を整えています。

グローバルな試験や大規模試験をマネジメントする能力に加えて、大規模なラボ・インフラを備えてい

ます。我々の特徴は、臨床試験のみでなく、創薬の部分の画像診断を提供していることにあります。これにより、製薬会社の創薬時の早期のコンセプトから登録時に至るまで製薬会社に深くかかわることが可能になります。

また、初期段階の探索活動を可能にするために画像診断クリニックを2施設運営しています。たとえば、アルツハイマー病のアミロイドやタウを描出する手段と解析方法を過去二十年以上にわたって活発に研究してきました。

自社の検査施設に加え、世界1800施設以上の施設と連携し、後期臨床試験を世界的に実施できる体制を整えています。これらは全て、非常に強力なソフトウェアプラットフォーム上に構築されています。Aaron Elliottが先に述べたように、これは統合的診断を支援するための世界的なインフォマティクスを可能にするものです。

我々は、データマネジメントプラットフォームだけでなく、長年培ってきた分析学とバイオインフォマティクスに強みがあります。社内には約120人のデータサイエンスに従事する人員がいます。

顧客との深いかかわりについてもう少し説明します。繰り返しになりますが、私たちは創薬から治験までのプロセスを共に歩むことで製薬会社からの信頼を得て、新規顧客を今年も得ています。Aaron Elliott が述べたように今年前半にはCOVID-19による大きなチャレンジがありましたが、変わらずに売上を計上できることを喜ばしく思います。それでは、Thomas Schoenherrにプレゼンテーションを引き継ぎます。

**Thomas Schoenherr:**

主にAmbry Geneticsによって行われている遺伝子診断の観点から、先ほどAaron Elliott が幾つかの

ポイントについて触れましたが、もう数点追加させていただきます。まず何よりも、遺伝子診断の世界では費やした年月が大切であることは皆さんも御存知かと思います。Ambry Geneticsは過去20年間、質の高いイノベーションとベストプラクティスの実践によって非常に高い評判を得てきました。

我々は、この分野での最先端企業の1つであることを自負しています。2000年代まで振り返ると、最初の次世代シーケンサーは、Ambry Genetics社のラボに設置されました。その時代から、革新的なサービスを市場に提供し続けてきました。

最近の例で言いますと、2019年に+RNAinsightと呼ぶ検査を開始しました。この業界での最高品質のラボがAmbry Geneticsであることは明確です。

2019年にはAmbry Geneticsは従来分野の市場拡大と共に50%を超える大きな成長を遂げましたが、その成長の多くは+RNAinsight®プラットフォームからもたらされました。

また最近大きな進展がありました。我々の歴史は遺伝カウンセラーとともにあります。この18カ月間で、ウィメンズ・ヘルスケアだけでなく、Community Oncology(地域医療機関で提供されるがん治療プログラム)にも対象を拡大しました。我々の遺伝子検査数は150万回を超え、200万回に近づいています。

Ambryのデータベースの特徴は、およそ80%の患者ががんに罹患していたことです。私たちは、患者の視点からもポートフォリオの視点からも、非常に複雑で有力なものに焦点を当てています。

Aaron Elliottは私たちのスーパー・ラボに言及しました。当社の本社はカリフォルニア州アリソ・ヴイエホにあります。通りから1マイルほど行くと、大規模かつ自動化され、高度で複雑な検査のために建てられた65,000平方フィートのラボがあります。

私たちはパートナーとかなり良い仕事をしてきています。保険の観点からは、米国の医療保険会社が提供するプランの95%以上とネットワークを形成しており、これにより、年間では9000施設以上の医療機関のサービス提供に携わっています。

価格設定の観点からは、市場の競合他社と比較してかなり高く設定することができています。これは、検査のプロセス、プロトコールに支えられ、我々の検査が高品質であることが認められているからです。

8枚目のスライドに進みます。ここでは我々の成長戦略についていくつかご紹介します。Aaron Elliottが、当社の基盤事業での4つの大きな成長戦略を挙げました。Invicroは、中核的なラボ構築の継続に焦点を当てており、我々は組織一体となって営業地域を拡大しています。特に日本市場は積極的に拡大する予定です。

我々の2つのプラットフォーム戦略についてさらに詳しく共有させてください。ひとつは、CAREプラットフォーム、もうひとつはLatticeプラットフォームです。情報源によっても異なりますがCAREの市場規模は極めて大きくなります。300億ドル、400億ドル、700億ドル、何れにせよ非常に大きな市場です。

実際に2019年の米国市場でCARE Programによる遺伝性癌の検査はありませんでしたが、米国市場で約80万件の遺伝性癌検査が必要であったと我々は推定しています。

NCCNのガイドラインに基づき遺伝性癌検診の対象者数を割り出すと、女性だけでも3500万人を超えます。実際に検査を受けている人数と、検査を必要とする人々の数には大きなギャップがあることがわかります。



市場でいくつかの課題を見出しました。医療システムや医療提供者は、スクリーニングや検査を受けるべき対象者を特定するのが現状では困難です。医師は、我々が望んでいるほどには遺伝子検査になじみがありません。改善されてきているとは言え、まだ我々が規模を拡大できるレベルには至っていません。

遺伝カウンセラー不足も深刻です。米国には約400人の遺伝カウンセラーがいます。これら半数は産業界に属し、残りの半数は腫瘍分野とウィメンズ・ヘルスケアに分かれています。

遺伝カウンセラーには、検査前の遺伝カウンセリングのみでなく、検査後のカウンセリングに関する教育も必要で、この事業を拡大するための課題となります。それが、我々がCARE Programを立ち上げた理由です。CAREは、Comprehensive, Assessment, Risk, Educationから我々が考えた略語です。

9枚目のスライドに進みます。このプラットフォームはポピュレーションヘルスのツールとして設計されました。患者の様々な疾患リスクを見つけ出し、そのリスクと、利用できる診断サービスについて患者を教育し、診断サービスの同意を得るようにデザインされています。

このサービスを通じて、検査結果を医療提供者だけでなく患者にも提供し、そのプロセス全体を文書化します。我々はこのポピュレーションヘルスツールのバージョン3を7月から展開はじめました。7月からは、当年度、来期に向けて強いモメンタムを維持しています。

今日は遺伝性がんに焦点を当てています。私たちの患者の実経験を説明します。患者は、医療提供者からCARE Programを紹介する電子メールまたはテキストメッセージを受け取ります。そこからは、AmbryのバーチャルアシスタントであるチャットボットのAVAが引き受けます。

AVAは、リスク情報を特定するために必要なすべての情報を抽出するために患者と対話を行います。検査前教育とリスク情報の教育をチャットボット上でを行い、検査を進める同意を得ます。リスクが高く遺伝子検査を受ける必要がある人だけが実際にクリニックに行きます。

次に唾液か血液標本を採取します。私たちのラボで、診断に用いる検査を行います。そして、その結果を医療提供者と共有します。また、それらを患者向けのVRチャットボットに送付します。

私たちのプラットフォームには遠隔医療での遺伝カウンセラーネットワークが含まれていますので、患者が遺伝カウンセラーに相談したいと要望した時には、どの過程でも予約を取ることができます。検査後の教育と遺伝カウンセリングを行い、全過程を文書化します。

参入障壁の観点から、CARE Programは全ての部分を自動化しました。これにより、医療システムと臨床医が遺伝子検査を行うことを容易にし、さらに重要なことにはこのネットワーク全体にわたってポピュレーションヘルスを提供することができます。

我々は今年、CARE for COVIDと名付けたCOVID-19用のプログラムを開始しました。これは、我々のCAREプラットフォームの観点からは2番目の対象疾患です。

先ほどの説明と同様に、COVID-19検査を受ける必要がある個人を特定し、検査について教育し、検査を実施し、結果を提供し、プロセス全体を文書化することができます。患者の増え続けている疾病に対して、CARE Programを順次拡大し続けていきます。

10枚目のスライドに進みます。米国市場における遺伝子検査を導入するにあたるいくつかの障害を考

えると、米国市場以外では問題は10倍大きくなると考えています。米国以外では、遺伝カウンセラー不足と、医師の遺伝子検査に対する馴れの問題は、急激に大きくなります。

我々は、CARE Programを用いることにより、米国以外の市場でも多くの課題を解決することができます。私たちのLattice Programは、遺伝診断の米国外進出の推進力となっています。グループ会社のInvicroが、この問題を画像診断の領域ですでに解決していることは非常に幸運です。Invicroは、ネットワークの一部として世界中に数百のイメージングセンターを持っています。

フェーズ1では、遺伝子検査の観点からパートナーラボを世界中に作ることでビジネスを拡大し、最終的にウェットプロセスの部分は分散し、バイオインフォマティクスの整理・分類等や報告機能は一元化します。

遺伝子検査の観点では、数カ月前に中国に大きな実績のある台湾の企業と、数カ月前に契約を結んだのが最初の大きなパートナーになります。彼らは、われわれの最初のLatticeの専用パートナーになります。私たちは世界中の多数のパートナーと契約に向けての相談をしています。

我々の計画では、検査結果を保証できるラボネットワークを構築します。バイオインフォマティクスと遺伝子変異に関するレポートの整理・分類等は一元的に行い、施設に品質レポートを返送します。

やがてビジネスを拡大するにつれて、遺伝子情報、画像情報、そして最終的には病理情報が生み出されます。そして、これらをひとつのプラットフォームに統合することができるようになります。これは私たちの製薬企業のお客様にとって非常に魅力的なものになると考えています。Lattice戦略は、我々の米国外への進出を助ける大きな推進力になります。このネットワークは、我々の製薬企業とのパートナーシップを時間と共に推進していくのに役立つと考えています。

我々が生み出すデータに関して、私は常に「自分たちのデータは特別なものである」と自負しています。Aaron Elliott の指摘した能力は、データを特定し、構造化、モデル化して、マイニングすることです。InvicroとAmbry Geneticsの両面から構築したデータ分析とプラットフォームによりもたらされる為、非常に特徴的なものとなります。

また、HealthLake プラットフォームを持つAWS と戦略的提携を開始しました。この提携により、Ambry GeneticsとAWS は、両社の持つ情報を統合プラットフォームにまとめることが可能になります。総合的に診断率を高める、新しいバイオマーカーを発見する、製薬会社にとってさらに良い提携先になることなどの効果を期待できます。

実際の医療の観点については、Aaron Elliott博士にお譲りします。画像診断と遺伝子診断が合わさることで、患者にとってどのようなメリットがあり得るかについて、共有したい例があります。Aaron Elliott 博士お願いします。

**Aaron Elliott:**

統合的な診断アプローチによるデータセットに対する我々のアプローチについて、Tom Schoenherrが説明いたしました。診断や予後の検査をより良くするだけでなく、新しいバイオマーカーの発見にも役立つことができます。しかしこの11枚目のスライドでお示した例で最も強調したいのは、どのようにして我々が全ての情報を統合してコアとなる事業を推進するのかです。

ここでは、遺伝子診断と画像診断の統合がハイリスク癌患者のスクリーニングと特定の改善に役立つという例を示します。Tom Schoenherrは、CARE Programを通じて遺伝性がんの検査基準を満たす人をより効率的に特定できると述べました。

しかし、BRCA1および2の変異を持つ人たちに目を向けると、NCCN基準においても、マンモグラフィ画像を分析することによって、乳房組織の特徴に基づいてハイリスク群である兆候を統計的有意性を持って見出すことができ、これによりBRCA1および2変異を有する個人を特定できることが明らかになっています。

再び強調しますが、これは癌のない健常者の話です。我々が既に多数のイメージングセンターと契約を結んでいるCARE Programを通じて、このようなアプローチをとることができます。すなわち、現在のNCCN基準では遺伝性癌検査の対象とはならない患者に対して、画像診断の特徴に基づいてハイリスクと判断された患者が、遺伝性癌の検査を受けることになるということです。

この方法を用いることにより、画像検査と遺伝子検査を組み合わせることで検査の対象数を拡大するだけでなく、癌リスクのある女性をより多く特定することにより、臨床医により良い医療を提供することになります。

実際に癌にかかっている患者に用いることができるアプローチもあります。BRCA1および2変異由来の腫瘍は非常に特徴的な画像を示します。我々ががんのリスクが高い患者の情報を放射線科医にあらかじめ提供することで、がんの早期発見をより良いものにすることができます。

この情報を持つことにより、6カ月早く画像診断で実際に癌を発見できると示しているデータもあります。画像診断と遺伝子診断を組み合わせることで患者のケアを向上させ、より良い診断を提供することができるという例を示し、ご理解いただけたかと思います。

スライド12では、コニカミノルタプレジジョンメディシンへの投資することの魅力を要約します。残りの3分

間に何かご質問がございましたら、喜んでお受けいたします。

**Naoko Saito:**

発表ありがとうございます。投資家からの質問があります。CARE Programは予防的であると理解しましたが、米国市場および日本市場それぞれでビジネスモデルの観点から、どのように事業を拡大する予定ですか。

**Aaron Elliott:**

Tom Schoenherr、CARE Programの国際的な拡がりについてお応えすべきですかね。

**Tom Schoenherr:**

そうですね。国際的な取り組みとしては、各々の国と言語に融和することが大切です。現在、日本向けにCARE Programを開始する準備段階にあります。CARE Programを拡張したいと考えている言語リストは既に手元にあります。

繰り返しになりますが、米国でも大きなハードルがあります。米国外に出ようとすると、その障害はさらに大きくなると考えていますが、我々は実際に多くの課題を解決してきました。日本で、その後いくつもの国で、CARE Programを開始するところをお見せできると思います。

**Naoko Saito:**

ありがとうございます。投資家からの2番目の質問です。Invicroの顧客は多くの製薬会社の最大手企業ですが、製薬企業向けの研究開発のソフトウェア事業は競合が多いと思います。米国市場での重要なポイントや戦略は何ですか。

**Matt Silva:**

とても良い質問を頂きありがとうございます。Invicrolにとってソフトウェアの売上はそれほど大きくありません。画像解析ソフトを製薬会社や学術向けに販売し、データマネージメントを行っています。

しかし、私たちはPACS市場で競争しようとはしませんし、次世代PACSの開発も考えていません。我々は、治験業務に特化したプロジェクトマネジメントベースのシステムを構築しました。

より良いデータサイエンスを可能にする最新のアーキテクチャを取り入れることで、我々自身の社内活動すべてを管理するプロセスをより先進的なものにすることができます。Latticeプラットフォームは、この全てのデータの統合ですので、既存の他のプラットフォームとは大きく異なると考えています。

**Naoko Saito:**

Mr. Elliott、Mr. Silva、Mr. Schoenherr、どうも有難うございました。また本セッションに参加された全ての方々、どうも有難うございました。