

2020年度第1四半期決算概況



2020年8月4日

アステラス製薬株式会社

代表取締役副社長 経営戦略・財務担当役員

岡村 直樹

この資料に記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んでいます。様々な要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、この資料に含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、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。

本日の内容

I 2020年度第1四半期 連結業績および
2020年度業績 修正予想

II 持続的な成長に向けた取り組み

III キャピタルアロケーション

2020年度第1四半期業績の概要

売上収益・コア営業利益は前同比較で減少
成長を支える主要製品の売上は順調に拡大

- 特にXTANDI、PADCEVが期待を上回る売上拡大
主要製品の成長が、独占販売期間満了や日本での販売契約終了による
売上の減少をカバー
- 新型コロナウイルス感染症(COVID-19)拡大による業績へのマイナスの影響

2020年度第1四半期業績

(億円)	19年度1Q	20年度1Q	増減額	増減率	為替の影響を 除いた増減率
売上収益	3,341	3,070	-272	-8.1%	-6.0%
売上原価	705	597	-109	-15.4%	
売上収益比率	21.1%	19.4%			
販売費及び一般管理費	1,175	1,208	+33	+2.8%	
研究開発費	535	573	+38	+7.1%	
無形資産償却費	72	59	-13	-18.4%	
コア営業利益	847	634	-214	-25.2%	-18.4%
<フルベース>					
その他の収益	45	22	-23	-50.4%	
その他の費用	122	48	-74	-60.6%	
営業利益	771	608	-163	-21.1%	
税引前四半期利益	765	602	-163	-21.3%	
四半期利益	585	504	-81	-13.9%	

2020年度第1四半期業績：売上収益

主要製品の成長が、独占販売期間満了や日本での販売契約終了による売上の減少をカバー

	19年度1Q	20年度1Q	増減額
売上収益	3,341億円	3,070億円	-272億円

主要製品の増加

XTANDI、ゾスパタ、PADCEV、ミラベグロン、日本の新製品 **+281** 億円



独占販売期間満了／日本での販売契約終了の影響

欧州ベシケア、タルセバ、セレコックス、米国マイカミン／ファンガード
シムビコート、KMバイオ製品、ミカルディス **-288** 億円



COVID-19の影響：約-230億円

- 前期末の流通在庫の積み増しの反動（欧州XTANDI・プログラフなど）
- 受診抑制による需要減（OAB製品、レキスキャン、イベニティなど）



2020年度第1四半期業績：主要製品売上

2020年度1Q実績

XTANDI

1,120億円 +160億円(+17%)

- ✓ 過去最高の四半期売上
- ✓ 米国では物量で30%増加
- ✓ 20年5月、日本で適応追加

ゾスパタ

56億円 +32億円(+128%)

- ✓ 日本、米国に加え、欧州での売上貢献(+10億円)

PADCEV

30億円 +30億円

- ✓ 米国で19年12月に発売以降、順調な立ち上がり

ミラベグロン

404億円 +5億円(+1%)

- ✓ 米国は継続して二桁成長
- ✓ COVID-19の影響で需要が減少し、グローバル売上は横ばいにとどまる

日本の新製品

182億円 +54億円(+42%)

- ✓ イベニティ(+34億円)、スーグラファミリー(+11億円)がけん引

2020年度第1四半期：費用項目

コアベース：費用項目の増減

売上原価率

1.7ppt低下 ↓

- ✓ 主に製品構成の変化により低下
(未実現利益消去に係る為替の影響は原価率上昇方向(+ 1.1ppt))

販管費

2.8%増加 ↑

- ✓ 米国での売上拡大に伴うXTANDI共同販促費の増加を除くと4.8%減少
- ✓ COVID-19の影響による販促費用、旅費などの減少

研究開発費

7.1%増加 ↑

- ✓ 後期開発品の開発費用増加に加え、Audentes社の研究開発費が増加要因
- ✓ COVID-19の影響による開発費用の減少

無形資産償却費

18.4%減少 ↓

- ✓ タルセバ無形資産の米国の償却が前年度1Qに終了

2020年度通期業績 修正予想

- 売上収益、コア営業利益を下方修正
 - ✓ 最新のビジネス見通しを反映：
がん領域の主力品は力強い成長トレンドを継続しており、売上予想を上方修正
 - ✓ COVID-19の影響を反映：売上予想と費用見込みを下方修正
- コア営業利益率は20%を目指す

(億円)	20年度 期初予想	20年度 修正予想	差異
売上収益	12,820	12,565	-255
研究開発費	2,390	2,335	-55
コア営業利益	2,570 20.0%	2,510 20.0%	-60

2020年度通期業績 修正予想: 期初予想との差異 業績修正の要因

売上収益

コア営業利益

期初予想との差異

-255億円

-60億円

(内訳)

最新のビジネス
見通し

+130億円

- 米国XTANDI、PADCEVの好調

+85億円

- 売上の上方修正に伴う利益増
- 効率的な経費使用の推進
- グローバル調達のさらなる推進

COVID-19の影響

-350億円

- 流通在庫積み増しの反動
 - ✓ 欧州XTANDI・プログラフなど
- 受診抑制などに伴う売上の低下
 - ✓ OAB製品、レキスキャン、イベニティなど
- 欧州XTANDIの追加適応症(M1 CSPC)
取得見込みの遅れ

-130億円

- 粗利減: -270億円
- 費用減: +140億円
 - ✓ 活動の制限に伴う費用減
 - ✓ 臨床試験の遅れ

為替の影響

-35億円

-15億円



2020年度通期業績 修正予想: 期初予想との差異

第2四半期以降の見通し

- 売上収益の下方修正幅は縮小
がん領域の主力品の堅調な推移に加え、1Qに大きく出たCOVID-19の影響は緩やかになる見込み
- 期初予想を上回るコア営業利益を確保
COVID-19の影響による費用減に加え、さらなるコスト効率化を推進することで売上の減少による利益のマイナスを吸収

(億円)	1Q 期初予想と実績の差	2Q - 4Q 期初予想と修正予想の差	2020年度通期 期初予想と修正予想の差
売上収益	-195	-60	-255
コア営業利益	-85	+25	-60

本日の内容

12

I 2020年度第1四半期 連結業績および
2020年度業績 修正予想

II 持続的な成長に向けた取り組み

III キャピタルアロケーション

重点後期開発品：最新状況

(下線：2020年5月の2019年度決算発表以降の更新)

13

エンザルタミド

M0 CRPC

- 第Ⅲ相試験のOSデータをNEJMおよびASCO 2020で発表
- 添付文書へのOSデータ追加について米国(2020年5月)および欧州(2020年6月)で申請

M1 CSPC

- 2020年5月に遠隔転移を有する前立腺癌の適応で日本で承認取得
- 2019年7月に欧州で申請

M0 CSPC

- 第Ⅲ相試験進行中

中国

- M0 CRPC: 2019年10月に申請
- M1 CSPC: 第Ⅲ相試験進行中

ゾルベツキシマブ

胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん

- 第Ⅲ相試験進行中

膵臓腺がん

- 第Ⅱ相試験進行中

ギルテリチニブ

再発または難治性の 急性骨髄性白血病

- 中国: 2020年3月に申請

早期ステージの急性骨髄性白血病

- 第Ⅲ相試験進行中

ロキサデュスタット

慢性腎臓病に伴う貧血

- 欧州: 2020年4月に申請
- 日本: 2020年1月に保存期の適応追加について申請

化学療法に伴う貧血

- 第Ⅱ相試験進行中

エンホルツマブ ベドチン

転移性尿路上皮がん

- 治療歴なし(一次治療: ペムブロリズマブ併用): 第Ⅲ相試験進行中
- 二次以降の治療:
第Ⅱ相および第Ⅲ相試験進行中

その他の種類の固形がん

- 第Ⅱ相試験進行中

fezolinetant

更年期に伴う血管運動神経症状

- 米国・欧州: 第Ⅲ相試験進行中
- 日本: 開発計画を検討中
(日本ローカル開発を予定)
- アジア: アジア共同第Ⅲ相試験進行中

AT132 (resamirigene bilparvovec) XLMTM

- 重篤な有害事象が最近認められたため、
FDAの指示により臨床試験を差し止め (clinical hold)



エンザルタミド: 病期別第Ⅲ相試験データ

早期前立腺がんにおいても薬効を示す

- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

病期	早期 後期					
	去勢感受性(CSPC)			去勢抵抗性(CRPC)		
	M0	M1		M0	M1 (化学療法歴なし)	M1 (化学療法歴あり)
第Ⅲ相試験	EMBARK	ARCHES	ENZAMET	PROSPER	PREVAIL	AFFIRM
対照	プラセボ	プラセボ	従来の非ステロイド [*] 性 抗アンドロゲン剤	プラセボ	プラセボ	プラセボ
主要評価項目	MFS (試験進行中)	✓ rPFS HR 0.39	✓ OS HR 0.67	✓ MFS HR 0.29	✓ rPFS HR 0.19 ✓ OS HR 0.71*	✓ OS HR 0.63
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	(未達)	✓ HR 0.67	✓ HR 0.73	✓ HR 0.77	✓ HR 0.63
投与期間 (DoT)	(試験進行中)	(中央値未達)	✓ 29.5カ月	✓ 33.9カ月	✓ 17.5カ月	✓ 8.3カ月

✓: 結果入手済、*: 事前に設定した中間解析、**黄色ハイライト: 2020年度第1四半期決算時の更新**



M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、CRPC: 去勢抵抗性前立腺がん、MFS: 無転移生存期間、rPFS: 画像診断上の無増悪生存期間、HR: ハザード比

ロキサデュスタット：欧州申請

計9,000例以上の患者における8つのグローバル第Ⅲ相試験の結果に基づき、透析期および保存期の慢性腎臓病に伴う貧血の適応を対象に欧州で申請

- ✓ 有効性： 目標ヘモグロビン値を達成かつ維持、静注鉄剤の使用量を減少
- ✓ 安全性： 心血管および全般的な安全性プロファイルは、慢性腎臓病患者で認められるものと同様
 - 併合解析において、透析期ではESA群に対して、保存期ではプラセボ群に対して、MACEおよびMACE+いずれも非劣性を示した

ロキサデュスタットのグローバル第Ⅲ相プログラム

	保存期	透析期 - 透析導入期 *	透析期 - 安定期 †
ESA 治療歴なし	ALPS (n=594)	HIMALAYAS § (n=1,043)	
	DOLOMITES ‡ (n=614)		
	ANDES (n=922)		
	OLYMPUS (n=2,781)		
ESA 治療歴あり		ROCKIES § (n=2,133)	PYRENEES ‡§ (n=836)
			SIERRAS § (n=741)

■ プラセボ対照試験 ■ ESA対照試験

* 無作為化時に透析開始後2週以上4ヵ月以下の患者

† 無作為化時に透析開始後4ヵ月を越えている患者

‡ 実薬対照としてダルベポエチン アルファを使用、 § 実薬対照としてエポエチン アルファを使用



ESA: 赤血球造血刺激因子製剤、MACE: 主要心血管イベント(心血管死、非致死性心筋梗塞、非致死性脳卒中から成る複合評価項目)、MACE+: MACEIに入院を要した不安定狭心症とうっ血性心不全を加えたもの

AT132 (RESAMIRIGENE BILPARVOVEC): 最新状況



重篤な有害事象が最近認められたため、
FDAの指示によりXLMTM患者を対象とした臨床試験を差し止め (clinical hold)

試験コホート	AT132用量	組み入れ症例数 (全26例)	
		投与済	投与未了
用量漸増	1 x 10 ¹⁴ vg/kg	6	-
	3 x 10 ¹⁴ vg/kg	10	-
ピポタル用量拡大	3 x 10 ¹⁴ vg/kg	7	3

- AT132を3 x 10¹⁴ vg/kg投与された17例中3例で重篤な有害事象として進行性の肝機能障害を発症した。そのうち2例が死亡し、予備的な調査結果ではいずれも直接の死因は敗血症であった。これら3例の特徴は以下の通り:
 - ✓ 比較的高年齢
 - ✓ 比較的体重が重い
 - ✓ 肝胆道系疾患の既往歴あり
- AT132を1 x 10¹⁴ vg/kg投与された6例 (肝胆道系疾患の既往歴を有する4例を含む) では、投与から数年経過しているものの重篤な有害事象の発現は見られていない
- 現況ならびに今後の予定:
 - ✓ これらの症例に関する徹底的な調査ならびに規制当局との協議が進行中
 - ✓ 今後の方針を決定し、申請タイムラインを再調整する予定
 - ✓ AT132の開発およびXLMTM患者コミュニティに対し、引き続きコミットする

臨床開発に対する 新型コロナウイルス感染症(COVID-19)の影響(1/2)

- COVID-19拡大により臨床試験を一時中断していた米国、欧州および日本などの国々において、試験ごとにベネフィット／リスクを評価した上で再開している。
なお、一時中断により、遅延が生じている試験もある
- 遠隔診療、在宅での血液採取や検査の実施、近隣の医療機関の利用、自宅への治験薬の配送などの措置を講じ、患者さんの安全性と医療機関への負担軽減を確保した上で、臨床試験にすでに組み入れられた症例の維持に努めている
- いまだ続いている感染拡大に伴う変化に応じて、治験実施計画書の改訂などでフレキシブルに対応できるしくみを構築している

臨床開発に対する 新型コロナウイルス感染症(COVID-19)の影響(2/2)

主要プロジェクトにおける影響

プロジェクト	試験/マイルストーン	COVID-19の影響
エンザルタミド	M1 CSPCに関する 欧州当局の判断	<ul style="list-style-type: none">COVID-19拡大の影響でEMAによるGCP査察が延期されたため、当局の判断時期が遅延；当初予定は2020年度前半 ⇒ 現時点の見込みは最速で2020年度後半
ギルテリチニブ	第Ⅲ相試験	<ul style="list-style-type: none">特に、第Ⅲ相試験LACEWING(未治療、強力な化学療法不適応)およびアジア第Ⅲ相試験(再発または難治性)における症例組み入れに影響あり第Ⅲ相試験PASHA(未治療、強力な化学療法適応)などパートナーが実施している試験では症例組み入れ中断はなかったが、若干の減速あり
エンホルツマブ ベドチン	第Ⅲ相および 第Ⅱ相試験	<ul style="list-style-type: none">第Ⅲ相試験EV-301(白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴がある転移性尿路上皮がん)では症例組み入れを完了。グローバル承認申請に向け、患者の安全性の確保、継続的な治療の提供ならびにデータの品質の担保を目的とした新たな取り組みを実施中第Ⅱ相試験EV-202(その他の種類の固形がん)では症例組み入れに影響があるものの、長期の遅れは想定されていない
ゾルベツキシマブ	第Ⅲ相試験	<ul style="list-style-type: none">第Ⅲ相試験SPOTLIGHTおよびGLOWにおける症例組み入れに影響あり。COVID-19拡大前のレベルまで回復するには3-6カ月を要するとみている
ロキサデュスタット	当局レビュー	<ul style="list-style-type: none">特に影響なし
fezolinetant	第Ⅲ相試験	<ul style="list-style-type: none">第Ⅲ相ピボタル試験SKYLIGHT 1および長期投与試験SKYLIGHT 4において症例組み入れを一時中断していたが、再開後の組み入れは良好で、多くの施設で問題なく継続できているSKYLIGHT 4試験の症例数の増加は、主要評価項目に関するFDA見解への対応の結果だが、今後、COVID-19が試験終了時の生検完了率に対して影響を与える可能性も併せて考慮

流動的なCOVID-19状況に応じ、全ての臨床試験についてタイムラインを継続的に精査
必要に応じてClinicalTrials.govや決算報告を介して提示する予定

2020年度に期待される主なイベント

当局の判断	エンザルタミド	M1 CSPC (欧州) M0 CRPC (中国) M0 CRPC; OSデータ追加のための添付文書改訂 (米国、欧州)
	ロキサデュスタット	保存期の慢性腎臓病に伴う貧血 (日本)
データ判明	エンホルツマブ ベドチン	第II相試験EV-201コホート2 転移性尿路上皮がん (PD-1/L1阻害剤の治療歴あり、 白金製剤の治療歴なしおよびシスプラチン不適応)

適応症等の詳細は「新薬開発状況」を参照

ASP8062:オピオイド使用障害(OD)における開発

20

オピオイド危機の社会課題解決に向けた治療薬の研究開発を推進
- ASP8062 (GABA_B PAM) の初期臨床試験に対してNIHから助成金を獲得

米国におけるオピオイド危機

- オピオイドの過剰摂取により多くの人命が失われていることをふまえ、2017年10月に米国連邦政府は連邦法に基づきオピオイド危機を公衆衛生上の非常事態にあると宣言⁴
- オピオイド危機を科学的に解決するため、NIH Helping to End Addiction Long-Term Initiativeでは、オピオイド使用障害を治療する新たな医薬品・医療機器の開発加速化を推進

GABA_B PAM

- 様々な物質使用障害における自己摂取および薬物摂取行動の抑制にGABA_B受容体が関与
⇒ NIH傘下部門のNIDAは、GABA_B PAMを「オピオイド危機に対処するための最も望ましい10種の薬理作用機序⁵」のひとつに選択
- 今回の助成金獲得は、オピオイドを含む各種依存症モデル動物におけるASP8062の有用性を示唆したデータに基づく

THE OPIOID EPIDEMIC BY THE NUMBERS

数字で見るオピオイドの疫学 (米国保健福祉省のサイトから抜粋; 日本語は参考訳)
<http://www.hhs.gov/opioids/>



130+

People died every day from opioid-related drug overdoses³ (estimated) オピオイド関連薬物の過剰摂取による1日の死者数(推定)



10.3 m

People misused prescription opioids in 2018¹ オピオイド処方での誤用者数(2018年)



47,600

People died from overdosing on opioids² オピオイドの過剰摂取による死者数



2.0 million

People had an opioid use disorder in 2018¹ オピオイド使用障害の罹患者数(2018年)

NIHからの助成金で実施するASP8062の臨床試験

- 2つの第I相試験(薬物相互作用・安全性の検討): モルヒネとの併用、サボキソン(ブプレノルフィンとナロキソンの配合剤)との併用 [両試験進行中]
- OUD患者を対象とした第II相PoC試験 [第I相試験終了後に実施予定]



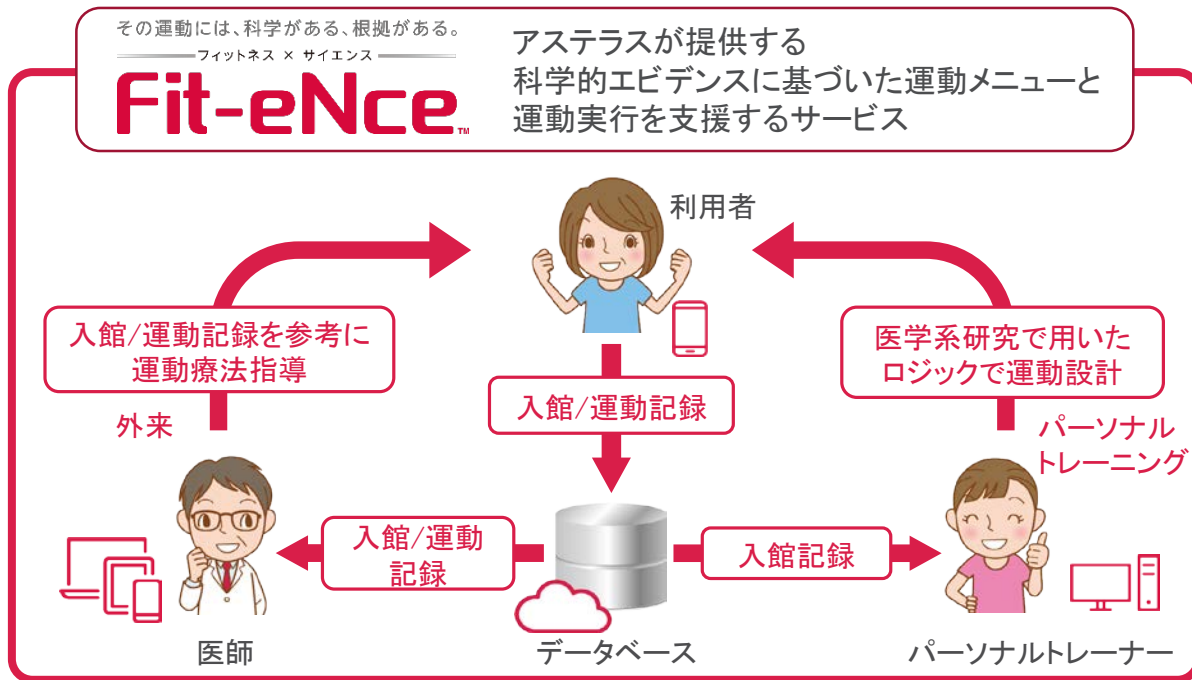
Rx+プログラムの進展： 新たなフィットネスサービス Fit-eNce^{*1}

慢性疾患の
重症化予防

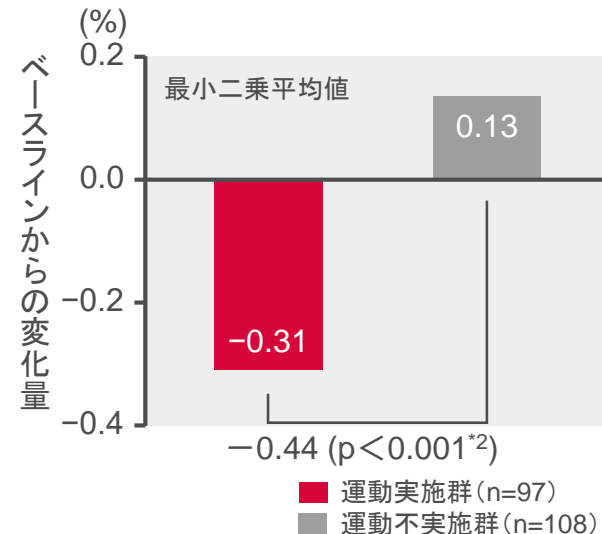


科学的根拠に基づいた運動支援サービス、
Rx+事業最初のプログラムとして地域限定で発売予定

- ✓ 横浜市および横浜市立大学との産官学連携により、科学的根拠のある運動プログラムを開発
- ✓ 2020年中に、当運動プログラムを活用したフィットネスサービスを、フィットネスクラブを通じ、地域限定発売予定



第13週におけるHbA1cの変化量
(医学系研究結果)



*1 Fit-eNce: フィットエンス

*2 解析対象症例: 最大解析対象集団 反復測定混合効果モデル(説明変数は試験群、評価時点、第0週の値、評価時点と試験群の交互作用、評価時点と第0週の値の交互作用)

本日の内容

22

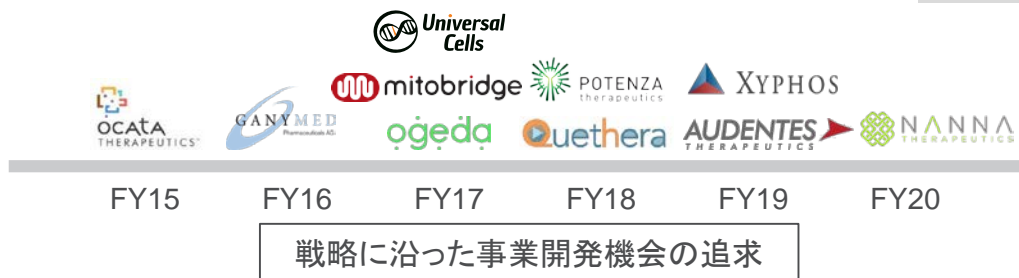
I 2020年度第1四半期 連結業績および
2020年度業績 修正予想

II 持続的な成長に向けた取り組み

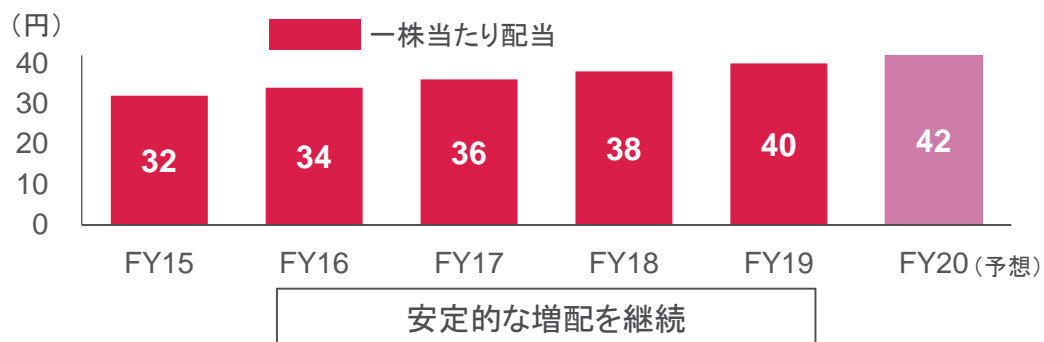
III **キャピタルアロケーション**

キャピタルアロケーション

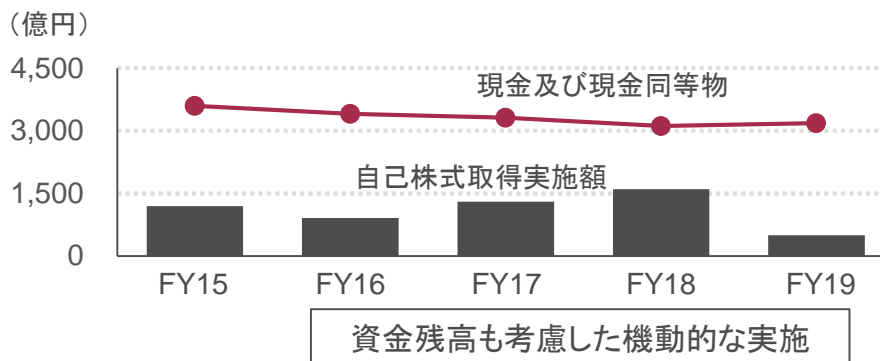
- 成長を実現するための事業投資を最優先




- 中長期的な利益成長に基づき、配当は安定的かつ持続的に向上



- 自己株式取得は機動的に実施



參考資料



AUDENTES社買収の企業結合会計

Audentes社の開始貸借対照表(20年1月15日)の公正価値評価を修正。
20年3月期の連結B/Sを遡及修正した

<20年3月末時点>

(単位:百万ドル)

諸資産 389	諸負債 116
無形資産 2,620	繰延税金負債 382
のれん 391	取得対価 2,902

<20年6月末時点*>

(単位:百万ドル)

諸資産 389	諸負債 116
無形資産 2,494 (-126)	繰延税金負債 354 (-27)
のれん 490 (+99)	取得対価 2,902

無形資産\$2,494Mの内訳

- IPR&D(仕掛研究開発): \$1,839M
- 特許および技術:\$656M

特許および技術に係る無形資産の償却額:

20年度予想(12ヵ月分) \$42M



2020年度1Q実績：地域別売上収益

(億円)	19年度1Q	20年度1Q	増減率
日本	985	778	-21.0%
米国	1,053	1,172	+11.3%
エスタブリッシュドマーケット	758	640	-15.5%
グレーターチャイナ	147	142	-3.4%
インターナショナル	342	302	-11.8%

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ、オーストラリア

グレーターチャイナ：中国、香港、台湾

インターナショナル：ロシア、中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、韓国、輸出売上等

2020年度1Q実績：主要製品の売上

(億円)	19年度 1Q	20年度 1Q	増減率	為替の影響を 除いた増減率	20年度 期初予想*	20年度 修正予想**
XTANDI	960	1,120	+16.6%	+19.7%	4,593	4,646
ゾスパタ	25	56	+128.3%	+133.1%	232	231
PADCEV	-	30	-	-		130
OAB製品	535	481	-10.0%	-8.2%	2,049	1,979
ミラベグロン	399	404	+1.2%	+3.3%	1,725	1,679
ベシケア	136	77	-43.0%	-42.1%	324	300
プログラフ	504	453	-10.2%	-7.4%	1,863	1,820



PADCEVはSeattle Genetics社からのコ・プロモーション収入
 OAB(過活動膀胱)製品：ベシケア+ミラベグロン(製品名：ベタニス/ミラベトリック/ベツミガ)
 プログラフ(アドバグラフ/グラセプター/アスタグラフXLを含む)

* 2020年5月公表

** 2020年8月公表

2020年度通期業績 修正予想

(億円)	20年度 期初予想	20年度 修正予想	差異
売上収益	12,820	12,565	-255
研究開発費	2,390	2,335	-55
コア営業利益	2,570	2,510	-60
コア当期利益	2,060	2,005	-55
<hr/>			
<フルベース>			
営業利益	2,520	2,465	-55
当期利益	2,020	1,975	-45

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	19年度1Q	20年度1Q	変動
ドル	110円	108円	2円高
ユーロ	123円	118円	5円高

期首 - 期末レートの変動

通貨	19年度1Q	20年度1Q
ドル	3円高	1円高
ユーロ	2円高	2円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 71億円の減少、コア営業利益: 58億円の減少
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 +1.1ppt

2020年度通期業績修正予想： 為替レート、為替感応度

為替レートの前提 (期中平均)	20年度期初予想	20年度修正予想
ドル	110円	109円
ユーロ	120円	120円

2020年度2Q以降の為替レートの想定：1ドル110円、1ユーロ120円

2020年度修正予想の為替感応度(2Q以降)の概算値*

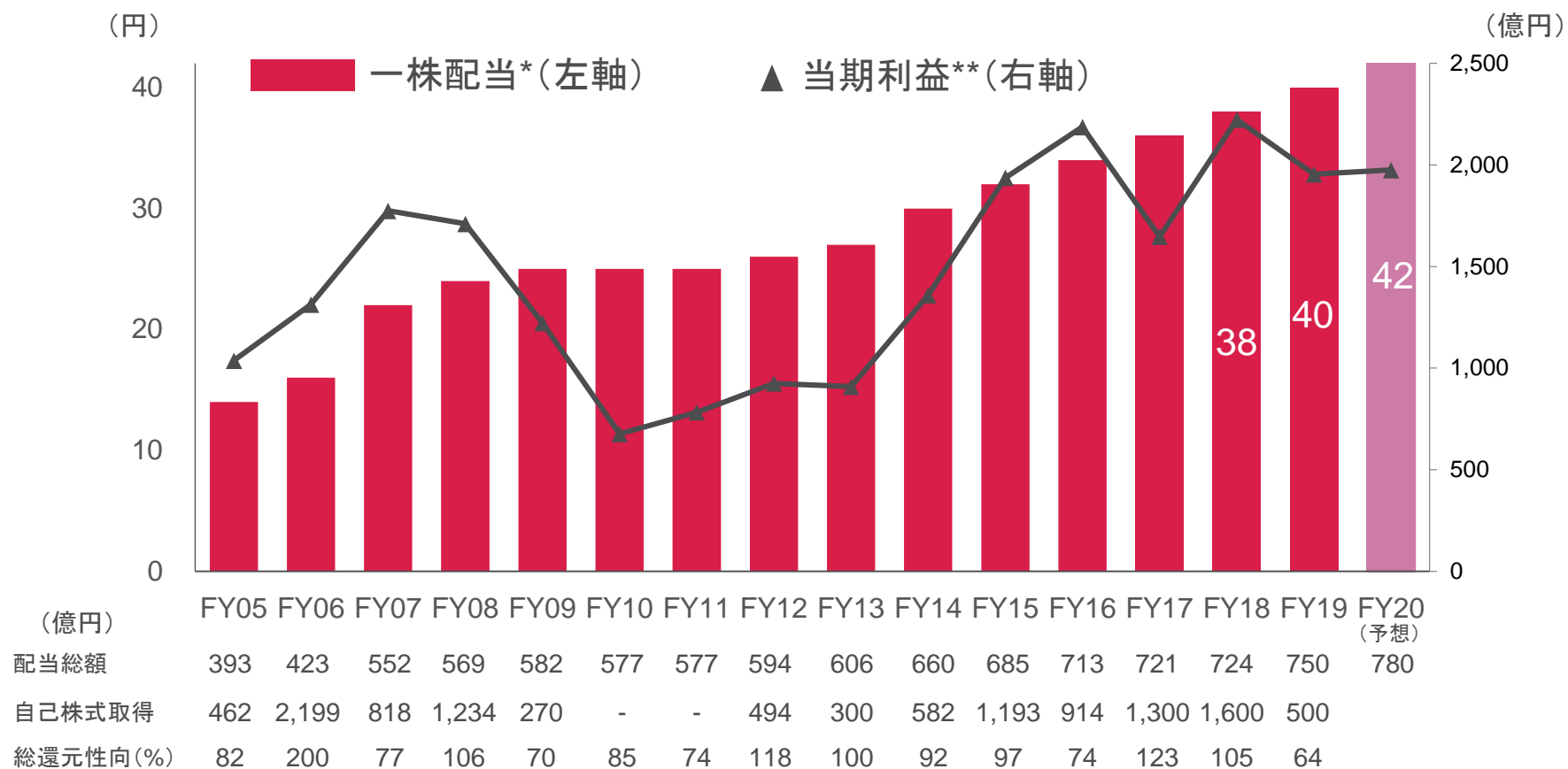
通貨	期中平均レート 予想前提より1円高		期末日レート 予想前提より1円高
	売上収益	コア営業利益	コア営業利益
ドル	約43億円減少	約8億円減少	約5億円増加
ユーロ	約20億円減少	約8億円減少	約2億円増加

バランスシートおよびキャッシュ・フローのハイライト

(億円)	20年3月末	20年6月末
総資産	23,152	22,560
現金及び現金同等物	3,184	2,399
親会社所有者帰属持分	12,892	13,067
親会社所有者帰属持分比率(%)	55.7%	57.9%

(億円)	19年度1Q	20年度1Q	19年度
営業CF	74	216	2,220
投資CF	-140	-283	-3,898
フリーCF	-66	-67	-1,678
財務CF	-404	-730	1,811
社債及び短期借入金	-	-1,100	3,260
長期借入による収入	-	800	-
自己株式取得	-0	-9	-529
配当金支払額	-358	-372	-735

株主還元の推移



* 2014年4月1日を効力発生日として5分割の株式分割を実施(2005年度の期首に株式分割が実施されたものとして調整した数値を表示)

** 2013年度(2014年3月期)以降の会計年度は国際会計基準(IFRS)

経営計画 2018 で紹介した今後の申請予定

2020年8月現在

✓✓✓: 承認

✓✓: 申請

✓: 結果入手
申請準備中

エンザルタミド 非転移性去勢抵抗性前立腺がん	✓✓✓	エンザルタミド 転移性去勢感受性前立腺がん (米国・日本)	✓✓✓	エンザルタミド 転移性去勢感受性前立腺がん (欧州)	✓✓	エンザルタミド 非転移性去勢感受性前立腺がん	
ギルテリチニブ 再発または難治性AML	✓✓✓	エンホルツマブ ベドチン 白金製剤およびPD-1/PD-L1阻害剤による治療歴のある転移性尿路上皮がん(米国)	✓✓✓	エンホルツマブ ベドチン 白金製剤およびPD-1/PD-L1阻害剤による治療歴のある転移性尿路上皮がん(米国)	✓✓✓	ゾルベツキシマブ 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	
ロキサデュスタット 慢性腎臓病に伴う貧血透析期(日本)	✓✓✓	ロキサデュスタット 慢性腎臓病に伴う貧血保存期(日本)	✓✓	ロキサデュスタット 慢性腎臓病に伴う貧血透析期・保存期(欧州)	✓✓	ギルテリチニブ AML(造血幹細胞移植後の維持療法)	
						ギルテリチニブ AML(寛解導入化学療法後の維持療法)	
						ギルテリチニブ AML(未治療、強力な化学療法不適応)	
						ギルテリチニブ AML(未治療、強力な化学療法適応)	
						fezolinetant 更年期に伴う血管運動神経症状	

2018年度

2019年度-2020年度

2021年度以降

疾患領域: ■がん ■泌尿器、腎疾患 ■その他

注)社内での評価・決定、必要に応じ当局との相談後に申請。最初の国・地域(米国・欧州・日本のいずれか)での申請予定



AML: 急性骨髄性白血病

成長の基盤となる開発パイプライン

34

第Ⅰ相

ASP1235/AGS62P1

ASP8374/PTZ-201

ASP1948/PTZ-329

ASP1951/PTZ-522

ASP9801

ASP7517

ASP0892

ASP0367/MA-0211

ASP2390

ASP0598

AT845

ASP8062

ASP1617

第Ⅱ相

ゾルベツキシマブ (膵臓腺がん)

ASP1650 (精巣がん)

エンホルツマブ ベドチン
(その他の種類の固形がん)

ASP7317 (萎縮型加齢黄斑変性等)

ASP1128/MA-0217 (急性腎障害)

ASP3772 (肺炎球菌感染症の予防)

FX-322 (感音難聴)

resamirigene bilparvovec
/AT132 (XLMTM)

bleselumab (rFSGS)

ASP8302 (低活動膀胱)

ロキサデュスタット (CIA)

isavuconazole (小児: 米国)

第Ⅲ相

エンザルタミド
(M0 CSPC、M1 CSPC: 中国)

ギルテリチニブ
(より早期ステージのAML、小児)

エンホルツマブ ベドチン
(転移性尿路上皮がん)

ゾルベツキシマブ
(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん)

ペフィシチニブ
(関節リウマチ: 中国)

ミラベグロン
(小児)

fezolinetant
(更年期に伴う血管運動神経症状)

申請

エンザルタミド
(M1 CSPC: 欧州)

エンザルタミド
(M0 CRPC: 中国)

ギルテリチニブ
(R/R AML: 中国)

ロキサデュスタット
(保存期の慢性腎臓病に伴う貧血: 日本)

ロキサデュスタット
(慢性腎臓病に伴う貧血: 欧州)

■ がん ■ Focus Areaアプローチ(がん免疫を除く) ■ その他

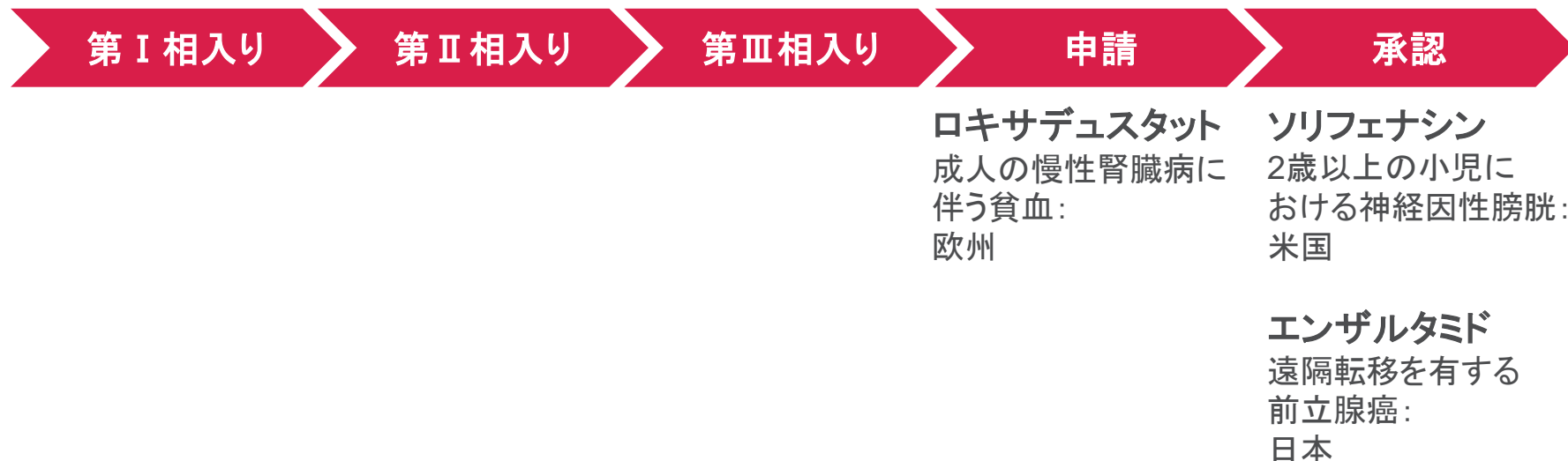
詳細は「新薬開発状況」を参照



開発の進展

臨床入りから承認まで: 2019年度決算発表(2020年5月)以降の進捗

35

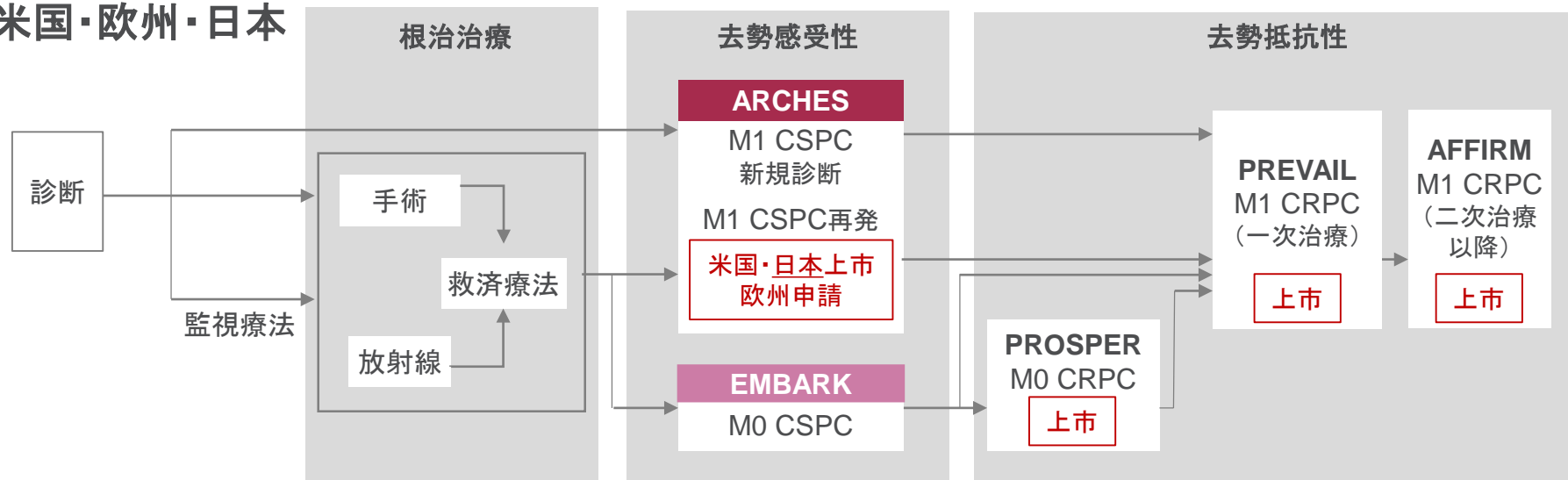


注) 開発段階の進展の定義

第Ⅰ相入り: 治験許可申請(IND) / 治験届の承認、次相への進展: 社内の意思決定機関における決定、
申請: 当局への申請書類の提出、開発中止: 社内の意思決定機関における決定

エンザルタミド：アンドロゲン受容体阻害剤

米国・欧州・日本



第Ⅲ相: ARCHES	M1 CSPC	プラセボ対照、ADT併用	n=1,150	2019年12月に米国で、2020年5月に日本で承認取得 2019年7月に欧州で申請
第Ⅲ相: EMBARK	M0 CSPC	プラセボ対照、ADT併用	n=1,068	症例組み入れ終了

中国

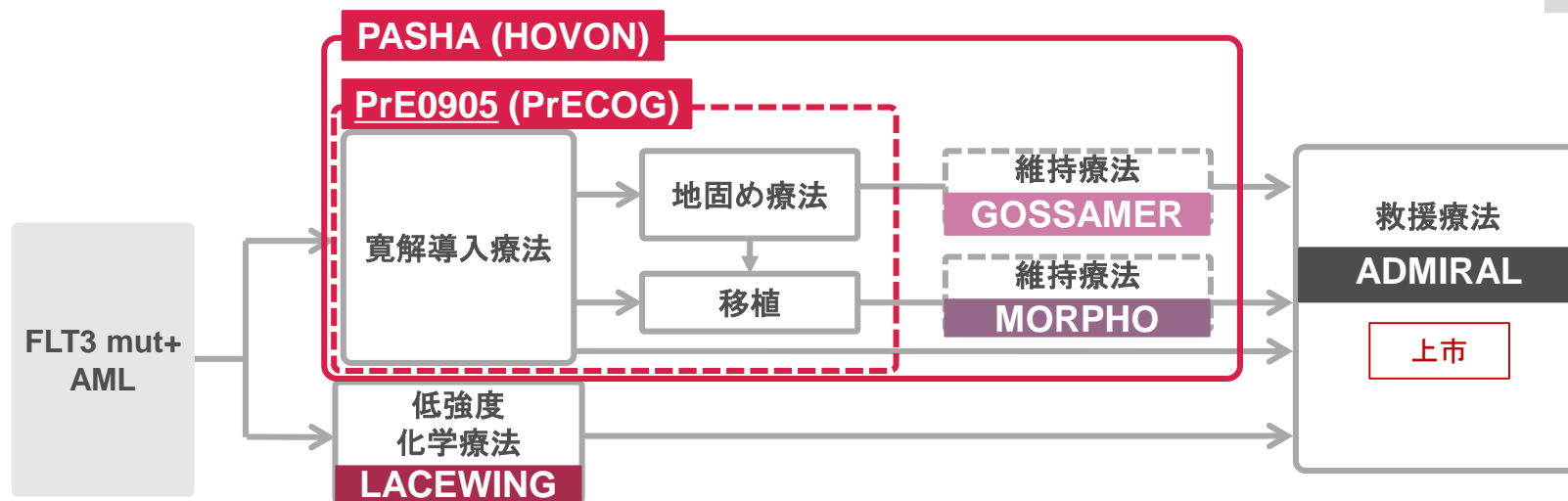
- M1 CRPC: 2019年11月に承認取得、2020年3月に上市
- M0 CRPC: グローバル第Ⅲ相PROSPER試験結果に基づき2019年10月に申請
- M1 CSPC: 2019年9月に第Ⅲ相China-ARCHES試験のFSFTを達成



下線: 前回の決算発表時(2019年度決算; 2020年5月)からの進捗

M1: 転移性、M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、CRPC: 去勢抵抗性前立腺がん、ADT: アンドロゲン除去療法、FSFT: 最初の症例への投与

ギルテリチニブ: FLT3阻害剤



再発または難治性	第Ⅲ相: ADMIRAL	単独療法と救援療法との比較 (2:1)	n=371	米国・日本・欧州で上市 2020年3月に中国で申請
未治療 (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相: PASHA (HOVON)	強力な化学療法との併用、 ギルテリチニブとミドスタウリン の比較 (1:1)	n=768	FSFT: 2019年12月 (治験依頼者: HOVON)
	第Ⅱ相: PrE0905 (PrECOG)		n=179	FSFT: 2019年12月 (治験依頼者: PrECOG, LLC)
未治療 (強力な化学療法不適応)	第Ⅲ相: LACEWING	アザシチジン併用療法と アザシチジン単独療法の比較 (2:1)	n=250	FSFT: 2016年11月
造血幹細胞移植後の 維持療法	第Ⅲ相: MORPHO	単独療法とプラセボとの比較 (1:1)	n=346	症例組み入れ終了、BMT-CTNと共同
化学療法後の維持療法	第Ⅱ相: GOSSAMER	単独療法とプラセボとの比較 (2:1)	n=98	症例組み入れ終了

転移性尿路上皮がんの治療状況およびEVの臨床試験

転移性尿路上皮がん治療歴	治療歴なし (一次治療)	白金製剤またはPD-1/L1阻害剤の治療歴あり	白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴あり
標準療法*	シスプラチン適応: • Gem-Cis シスプラチン不適応: • Gem-Carbo • PD-1/L1 阻害剤 (PD-L1高発現の患者)	白金製剤の治療歴あり: • PD-1/L1阻害剤 PD-1/L1阻害剤の治療歴あり: • Gem-Carbo	<ul style="list-style-type: none"> • 単剤化学療法 • 臨床試験 • 緩和ケア • EV単剤 (米国のみ)
EVの臨床試験	第Ⅲ相: EV-302 白金製剤適応 EV + Pembro +/- 白金製剤 (Carbo/Cis)	第Ⅱ相: EV-201 (コホート2) PD-1/L1阻害剤の治療歴あり 白金製剤の治療歴なし、 シスプラチン不適応	第Ⅱ相: EV-201 (コホート1) 米国上市 白金製剤および PD-1/L1阻害剤の治療歴あり
	第Ⅰ b /Ⅱ相: EV-103 Pembro併用、他の化学療法併用		第Ⅲ相: EV-301 白金製剤および PD-1/L1阻害剤の治療歴あり 化学療法との比較

* 標準治療・承認されている薬剤は地域・国ごとに違う点もあるが、基本的な治療の流れは同じ

エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/3) : 臨床試験概要

尿路上皮がん

第Ⅲ相: EV-301	白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴がある転移性尿路上皮がん; 化学療法との比較	n=608	症例組み入れ終了
第Ⅲ相: EV-302	治療歴がなく白金製剤適応の局所進行性または転移性尿路上皮がん; EV + ペムブロリズマブ +/- 白金製剤(カルボプラチン/シスプラチン)	n=1,095	FSFT: 2020年4月
第Ⅱ相: EV-201	PD-1/L1阻害剤の治療歴がある転移性尿路上皮がん コホート1: 白金製剤治療歴あり コホート2: 白金製剤治療歴なしおよびシスプラチン不適応	n=219	コホート1: 2019年12月に米国で承認取得 (迅速承認プログラムに基づく)・上市 コホート2: 症例組み入れ終了
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	コホートA - GおよびK(局所進行性あるいは転移性尿路上皮がん): A-G: EVとペムブロリズマブの併用、EVと他の化学療法の併用 K: EV単剤 vs. EVとペムブロリズマブの併用 コホートH & J(シスプラチン不適応の筋層浸潤性尿路上皮がん): H: EV単剤、J: EVとペムブロリズマブの併用	n=407	FSFT: 2017年11月 <ul style="list-style-type: none"> ペムブロリズマブ併用コホートの最新結果をASCO GU 2020で発表 ペムブロリズマブ併用コホートの初回解析結果に基づき、シスプラチン不適応の転移性尿路上皮がんにおける一次治療を対象に、2020年2月にFDAよりブレイクスルーセラピー指定を受領
第Ⅰ相: EV-101	パートA: 転移性尿路上皮がん パートB: 腎不全患者、転移性非小細胞肺癌、転移性卵巣がん パートC: 転移性尿路上皮がん(PD-1/L1阻害剤の治療歴あり)	n=213	症例組み入れ終了

その他の種類の固形がん

第Ⅱ相: EV-202	ホルモン受容体陽性/HER2陰性 乳がん、トリプルネガティブ乳がん、扁平上皮非小細胞肺癌、非扁平上皮非小細胞肺癌、頭頸部がん、胃がん・胃食道接合部がんまたは食道がん	n=240	FSFT: 2020年3月
----------------	--	-------	---------------

エンホルツマブ ベドチン(EV) (3/3) : EV-103試験デザイン

	用量漸増コホート	用量拡大コホート			
局所進行性 または 転移性 尿路上皮 がん	EV + Pembro シスプラチン不適応 1L or 2L	EV 推奨用量	コホートA EV + Pembro シスプラチン不適応 1L コホートK EV単剤 vs. EV+Pembro (1:1, n=150 in total) シスプラチン不適応, 1L	コホートD EV + Cis, 1L コホートE EV + Carbo, 1L コホートB (オプション) EV + Pembro, 2L	コホートG EV + Cis/Carbo + Pembro 1L コホートF (オプション) EV + ゲムシタビン 1L or 2L
筋層浸潤性 尿路上皮 がん			コホートH EV単剤 シスプラチン不適応	コホートJ EV + Pembro シスプラチン不適応	

ESMO 2019およびASCO GU 2020で発表したデータの対象コホート(シスプラチン不適応、一次治療)
 新規に追加されたコホート

エンホルツマブ ベドチンとペムブロリズマブの併用による一次治療を
 シスプラチン不適応患者で評価した、EV-103試験コホートKおよび他コホートの
 データが、米国での迅速申請プログラムに基づく申請をサポートする可能性あり

ゾルベツキシマブ：抗CLAUDIN 18.2モノクローナル抗体

ターゲット：Claudin18.2

- タイトジャンクションの主要な構成因子で、上皮細胞層の細胞間の隙間をふさぐ
- 様々ながん種において広範囲に発現
 - 胃がん患者の約70%で発現、そのうち約30%が進行中の第Ⅲ相試験の組み入れ基準に合致
 - 原発性膵臓腺がん患者の約60%で発現、そのうち約20%が進行中の第Ⅱ相試験の組み入れ基準に合致すると推定

胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん

- 対象となる患者層：
Claudin18.2高発現の局所進行性または転移性胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん
- 胃がんは、世界でがんによる死因の3番目を占める¹
- 転移性胃腺がんおよび食道胃接合部腺がんの5年生存率は20%未満^{2,3}
- ステージ4の胃がんの全生存期間の中央値は10-15カ月^{4,5}

胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん	第Ⅲ相： SPOTLIGHT	一次治療、mFOLFOX6との併用、プラセボ対照	n=550	FSFT： 2018年10月
	第Ⅲ相： GLOW	一次治療、CAPOXとの併用、プラセボ対照	n=500	FSFT： 2019年1月
	第Ⅱ相： ILUSTRO	コホート1： 三次以降の治療、ゾルベツキシマブ単剤 コホート2： 一次治療、mFOLFOX6との併用 コホート3： 三次以降の治療、ペムブロリズマブとの併用	n=112	FSFT： 2018年9月
膵臓腺がん	第Ⅱ相	nab-パクリタキセルとゲムシタビンとの併用、 プラセボ対照	n=141	FSFT： 2019年5月

FEZOLINETANT: NK3受容体拮抗剤

血管運動神経症状(VMS)は QOL(生活の質)に大きな影響を及ぼす

- 身体症状として、ほてりや発汗・寝汗などがあり、睡眠に影響を与える可能性がある
- 身体症状が恥ずかしさ、いらだち、不安、悲しみといった精神症状につながる。
- 日常生活の様々な場面でネガティブに影響する¹

Women's Health Initiative (WHI)の臨床研究²

- 初期のデータ分析では、慢性的なホルモン補充療法(HRT)の使用と心血管疾患およびがんのリスクの増加との関連が示された
- WHIの報告以降、HRTと同等の有効性を有し、重要な安全性の懸念がない、HRTの代替薬となるようなものはなく、大きなアンメット・メディカルニーズが生じている

米国および欧州

第Ⅲ相: SKYLIGHT 1	中等度から重度のVMSを有する閉経後の更年期女性 12週: 二重盲検、30 mg vs. 45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=527	症例組み入れ完了
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	40週: 非対照、30 mg または 45 mg	n=501	症例組み入れ完了
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	閉経後の更年期女性 52週: 二重盲検、30 mg vs. 45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=1,740	FSFT: 2019年8月

アジア(日本を除く)

第Ⅲ相: MOONLIGHT 1	中等度から重度のVMSを有する閉経後の更年期女性 12週: 二重盲検、30 mg vs. プラセボ(1:1) 12週: 非対照、30 mg	n=300	FSFT: 2020年4月
第Ⅲ相: MOONLIGHT 3	閉経後の更年期女性、非盲検、30 mg を52週投与	n=150	症例組み入れ中

下線: 前回の決算発表時(2019年度決算; 2020年5月)からの進捗

1: DelveInsight, Epidemiology Forecast, June 2018, 2: Data Source - IMS NPA (2000-2016), IMS NSP (2000-2016). (3 HTs and SSRI) NAMS 2015 Position Statement. FSFT: 最初の症例への投与

AT132 / RESAMIRIGENE BILPARVOVEC: rAAV8-Des-hMTM1



AT132の特徴

- 2020年1月に買収したAudentes Therapeutics社の遺伝子治療パイプラインにおけるリードプログラム
- AAV8によりヒトMTM1遺伝子を骨格筋細胞に送達してミオチューブラリン酵素を発現するように設計
- 薬事関連認定:
 - ✓ <米国>RMAT(再生医療先進治療)指定、希少小児疾患指定、ファストトラック指定、オーファンドラッグ指定
 - ✓ <欧州>PRIME指定、オーファンドラッグ指定

X連鎖性ミオチューブラーミオパチー(XLMTM)

- X染色体連鎖性の希少神経筋疾患であり、MTM1遺伝子の機能欠損変異が原因
 - ✓ 新生児男子4-5万人におよそ1人の割合で発生
 - ✓ 生後18ヵ月時点の推定生存率は約50%
- 80%を超える患者で人工呼吸器による補助が必要
- 運動機能の発達が大幅に遅滞
- 治療法は存在せず、支持療法のみ

ASPIRO

(XLMTM患者対象の申請用臨床試験)

vs. 遅延コントロール群

パート1: 用量漸増

コホート1: 1×10^{14} vg/kg

コホート2: 3×10^{14} vg/kg

パート2: ピポタル用量拡大コホート (3×10^{14} vg/kg)

n=26

重篤な有害事象が最近認められたため、臨床試験を差し止め (clinical hold)

変化する医療の最先端へ

