

# 2020年度第2四半期決算概況



2020年10月30日

アステラス製薬株式会社

代表取締役社長CEO

安川 健司

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2四半期 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

# 2020年度第2四半期業績

(億円)	19年度2Q	20年度2Q	増減	増減率	為替の影響を 除いた増減率
売上収益	6,505	6,155	-350	-5.4%	-4.6%
売上原価	1,389	1,195	-193	-13.9%	
売上収益比率	21.3%	19.4%	-1.9 ppt		
販売費及び一般管理費	2,261	2,421	+161	+7.1%	
研究開発費	1,050	1,117	+67	+6.4%	
無形資産償却費	112	115	+3	+3.1%	
コア営業利益	1,680	1,303	-377	-22.4%	-18.5%
<b>&lt;フルベース&gt;</b>					
その他の収益	72	43	-30	-	
その他の費用	130	477	+347	-	
営業利益	1,622	869	-753	-46.4%	
税引前四半期利益	1,616	891	-725	-44.9%	
四半期利益	1,285	728	-557	-43.3%	

# 2020年度第2四半期業績：売上収益

主要製品や新製品は力強い成長を継続

## 2020年度2Q実績

<b>XTANDI</b>	2,255億円	+305億円
<b>ゾスパタ</b>	110億円	+52億円
<b>PADCEV</b>	60億円	+60億円
<b>ミラベグロン</b>	800億円	+12億円
<b>日本の新製品</b>	349億円	+71億円

主要製品・  
新製品の成長

**+501** 億円

連結売上収益は前同比 -350億円

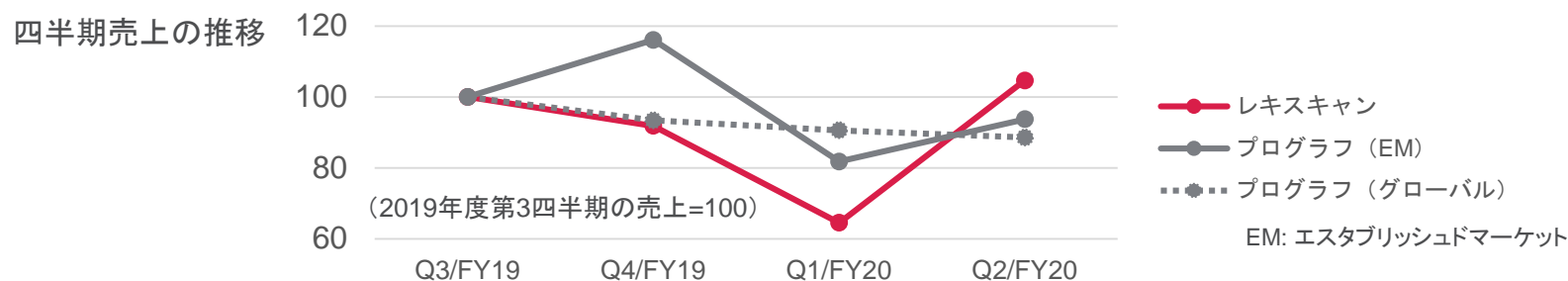
- ✓ 独占販売期間満了品、日本での販売契約終了品が減少
- ✓ レキスキャン、ジェニナックなど、新型コロナウイルス感染症の影響による減少

# 2020年度第2四半期業績：業績予想に対する進捗

## ● 8月に修正した通期予想に沿ったコアベースの業績

	2Q実績 累計	通期予想	通期予想に 対する進捗率
売上収益	6,155億円	12,565億円	<u>49.0%</u>
コア営業利益	1,303億円	2,510億円	<u>51.9%</u>

- ✓ XTANDI、ゾスパタ、PADCEVなどの主要製品は順調に推移
- ✓ 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
- ✓ 新型コロナウイルス感染症の製品売上への影響は、予想どおり第1四半期に比べて緩和



## ● フルベース：予想に織り込んでいない減損損失の計上

- ✓ ASP8374の開発中止に伴い無形資産を減損処理(305億円)

# 2020年度 通期業績予想の修正

- コアベースの通期業績予想は変更なし

(億円)	2Q実績	通期予想 (8月修正)
売上収益	6,155	12,565
研究開発費	1,117	2,335
コア営業利益	1,303	2,510
コア四半期利益／当期利益	1,062	2,005

通期予想  
変更なし

- 無形資産の減損損失の計上により、フルベースの利益を下方修正

(億円)	2Q実績	通期予想 (8月修正)	修正予想	差異
営業利益	869	2,465	2,105	-360
四半期利益／当期利益	728	1,975	1,695	-280

# 本日の内容

I 2020年度第2四半期 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



# 重点後期開発品：最新状況

(下線：2020年8月の2020年度第1四半期決算発表以降の更新)

## エンザルタミド

### M0 CRPC

- 添付文書へのOSデータ追加について  
米国で承認(2020年10月)、  
欧州で申請(2020年6月)

### M1 CSPC

- 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

## 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

## 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

## 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

## fezolinetant

### 更年期に伴う血管運動神経症状

- 米国・欧州：第Ⅲ相試験SKYLIGHT 2  
の全症例で12週(二重盲検)時点の  
観察を完了、SKYLIGHT 1で症例組み  
入れ完了。長期試験SKYLIGHT 4で  
新規症例スクリーニングを停止
- アジア：アジア共同第Ⅲ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

- 治療歴あり：  
第Ⅲ相EV-301試験(白金製剤および  
PD-1/L1阻害剤の治療歴がある患者対  
象)において主要評価項目(OS)を達成。  
第Ⅱ相EV-201試験コホート2(PD-1/L1  
阻害剤の治療歴があり白金製剤未治療  
かつシスプラチン不適応の患者対象)に  
おいて良好な結果(ORR)を入手
- 治療歴なし  
(一次治療;ペムプロリズマブ併用)：  
第Ⅲ相試験進行中
- 中国：グローバル臨床試験に参画  
すべく準備中。ブリッジング試験  
(第Ⅱ相試験)のIND提出

### 筋層浸潤性膀胱がん

### (ペムプロリズマブ併用)

- 第Ⅲ相入り

### その他の種類の固形がん

- 第Ⅱ相試験進行中

## AT132 (resamirigene bilparvovec) XLMTM

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



# エンホルツマブ ベドチン(EV) (1/5): 転移性尿路上皮がんの開発プログラム全容

早期

- 尿路上皮がんの病期 -

後期

## 筋層非浸潤性膀胱がん(NMIBC)

### ステージ0a-1

- Ta: 非浸潤性乳頭状がん
- Tis: 上皮内がん
- T1: 粘膜固有層浸潤性がん

## 筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)

### ステージ2および3

- T2: 筋層浸潤性がん
- T3: 膀胱周囲脂肪体浸潤性がん
- T4a: 隣接臓器(前立腺、子宮、膣)へ浸潤したがん

## 転移性尿路上皮がん(mUC)

### ステージ4

- T4b: 骨盤壁・腹壁浸潤性がん
- N1-3: リンパ節転移
- M1: 遠隔転移

### mUC治療歴

### 治療歴なし(一次治療)

### 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

### EVの臨床試験

- 第Ⅲ相
- 第Ⅱ相

#### 第Ⅲ相: EV-302

白金製剤適応  
EV + Pembro vs. 化学療法

#### 第Ⅰ b/Ⅱ相: EV-103

(用量漸増コホート & コホートA)  
シスプラチン不適応、EV + Pembro

(コホートK)  
シスプラチン不適応  
EV単剤 vs. EV + Pembro

第Ⅱ相: EV-201(コホート2)  
PD-1/L1阻害剤の治療歴あり、  
白金製剤未治療かつ  
シスプラチン不適応; EV単剤

良好な結果  
(ORR)入手

主要評価項目  
(OS)達成

第Ⅱ相: EV-201(コホート1)  
白金製剤および  
PD-1/L1阻害剤の治療歴あり  
EV単剤

米国で  
迅速承認  
& 上市

第Ⅲ相: EV-301  
白金製剤および  
PD-1/L1阻害剤の治療歴あり  
EV単剤 vs. 化学療法

第Ⅱ相: EV-203  
＜ブリッジング試験(中国)＞  
白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の  
治療歴あり; EV単剤

# エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/5) : 転移性尿路上皮がんの開発プログラム最新状況

## ● グローバルにおける臨床開発

- ✓ 第Ⅲ相EV-301試験(白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴がある患者対象; 化学療法との比較):  
中間解析において、主要評価項目OS(HR=0.70; p=0.001)ならびに副次評価項目PFS(HR=0.61; p<0.00001)を達成  
⇒ 米国において迅速承認を正規承認に変えるべく追加申請を予定。  
さらに、欧州・日本など他の地域における承認申請も予定
- ✓ 第Ⅱ相EV-201試験コホート2(PD-1/L1阻害剤の治療歴があり、白金製剤未治療かつシスプラチン不適応の患者対象):  
良好な結果(ORR 52%)を入手 ⇒ 米国における適応拡大のための追加申請を予定

## ● 中国における臨床開発

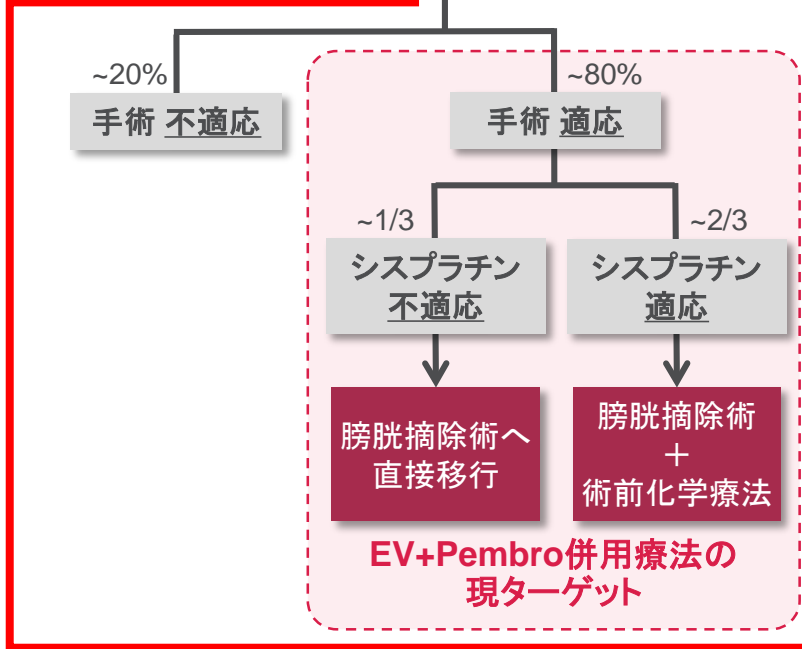
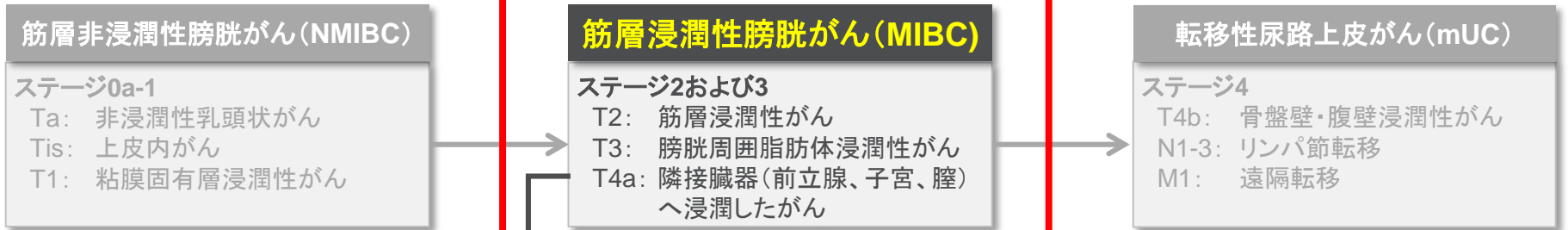
- ✓ 治療歴あり - EV単剤:  
グローバル第Ⅲ相EV-301試験および第Ⅱ相EV-201試験データを中国での申請に利用するために、白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴がある中国人の患者を対象とした第Ⅱ相EV-203試験を実施する。IND提出済
- ✓ 治療歴なし(一次治療) - EVおよびペムブロリズマブとの併用:  
進行中のグローバル第Ⅲ相EV-302試験に中国の施設を追加する

# エンホルツマブ ベドチン(EV) (3/5) : 筋層浸潤性膀胱がん治療の状況

早期

- 尿路上皮がんの病期 -

後期



## MIBC治療状況\*

(\* 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)

- 根治的膀胱摘除術(RC)に骨盤リンパ節郭清(PLND)を組み合わせた治療が、MIBCに対する標準療法として確立している
- RCを予定しているシスプラチン適応の非転移性MIBC患者における望ましい全身療法として、術前化学療法が汎用されている

## アンメットメディカルニーズ

- RCおよびPLNDを施行しても、約40%の患者が診断後3年以内に転移性がんにより死亡する<sup>1</sup>
- 治療オプションはシスプラチンベース療法に限定されており、現時点で、シスプラチン不適応の患者に対して適用できる全身療法はない

# エンホルツマブ ベドチン(EV) (4/5) : 筋層浸潤性膀胱がんの開発プログラム

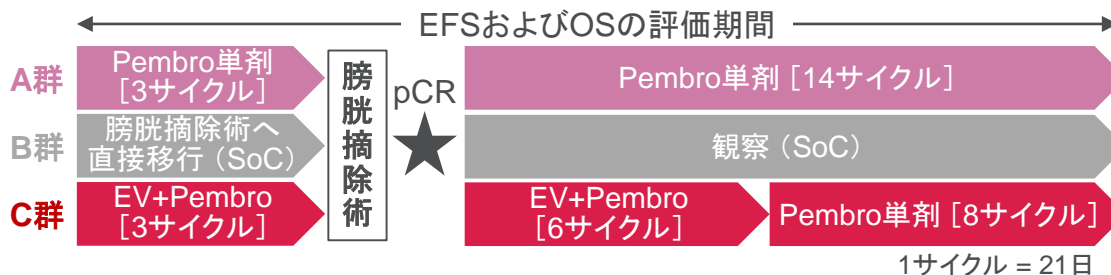
EVとペムブロリズマブの併用療法の可能性を  
アンメットニーズの高い筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)に拡大する

## EVとペムブロリズマブの併用療法をMIBCに適用する根拠

- 白金製剤なしの治療オプションであるEVとペムブロリズマブの併用療法は、EV-103試験の転移性尿路上皮がん一次治療としての評価において、有望なデータを示した
- この併用は獲得免疫を介して抗腫瘍活性を増強する可能性が非臨床試験で示唆されている

## MIBC患者対象ピボタル試験

### 1) シスプラチン不適合患者対象 第Ⅲ相試験 (KEYNOTE-905) : EV + Pembro 周術期投与 vs. 膀胱摘除術のみ



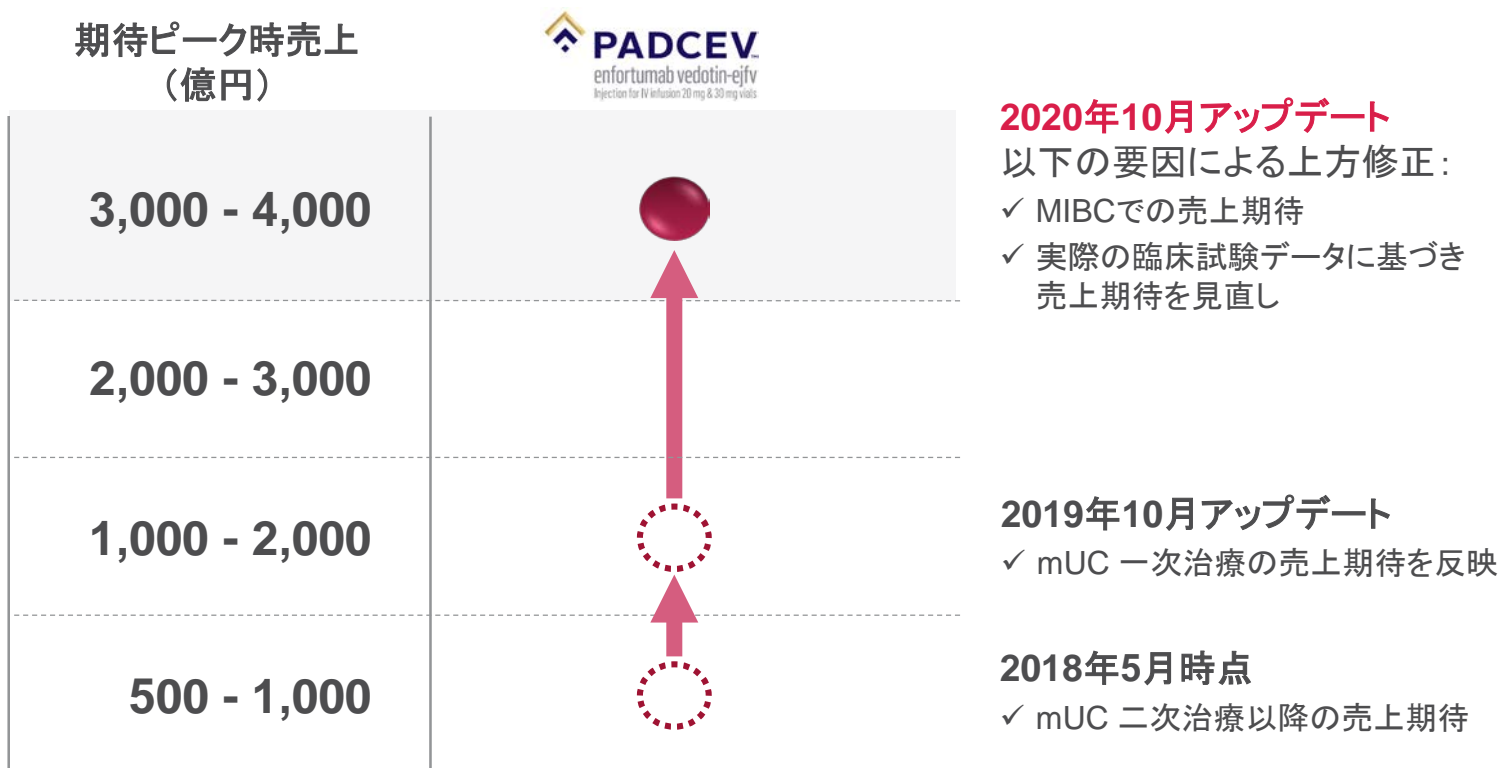
- 評価項目:
  - ✓ 主要 (dual) : EFSおよびpCR
  - ✓ 主な副次: OS
- n=836、1:1:1に無作為化
- Merck社が実施中のKEYNOTE-905試験にC群を追加

### 2) シスプラチン適合患者対象 第Ⅲ相試験: 準備中 (Seagen社およびMerck社との共同)



# エンホルツマブ ベドチン(EV) (5/5) : 売上期待値のアップデート

転移性尿路上皮がん(mUC)および筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)での  
売上期待規模は3,000億円～4,000億円に大きく上方修正



注) 期待ピーク時売上: 市場での売上予測であり、アステラスが計上する売上とは異なる

# FOCUS AREAアプローチの進展(1/3): ASP0367 - 原発性ミトコンドリアミオパチー



原発性ミトコンドリアミオパチー患者における開発プログラムについて  
FDAからファストトラック指定を取得


## 原発性ミトコンドリアミオパチー(PMM)

- 遺伝子の変異によりミトコンドリアの機能が障害されるミトコンドリア病であり、筋肉の機能の低下、運動における持久力の低下（運動不耐性など）や疲労の増加、ならびに筋萎縮といった症状が現れる
- さらに心筋の機能低下による心筋症や心不全、横隔膜など呼吸筋の機能低下による呼吸不全や肺炎などの重篤かつ生命を脅かす合併症を引き起こす可能性がある
- ミトコンドリア病の点有病率は、少なくとも8,000人に1人（ミトコンドリアミオパチーの症状を呈する患者に限定した場合）、もしくは4,300人に1人（症状がない患者を含めた場合）である<sup>1</sup>
- 現在承認された治療法はなく、アンメットメディカルニーズの高い疾患である

## ASP0367/MA-0211の特徴

- Mitobridge社創製の選択的 PPAR $\delta$  調節剤
- 遺伝子発現プログラムを活性化し、ミトコンドリア活性において非常に重要なタンパク質を生成する
  - ✓ ATP/エネルギーを作る燃料として脂肪酸の使用を増やす
  - ✓ 新しいミトコンドリアを生成する
- <前臨床試験> PMM患者から採取した線維芽細胞において、ASP0367が PPAR $\delta$  標的遺伝子の発現を増加しミトコンドリアの機能を亢進することを確認
- <臨床試験> ASP0367の健康成人対象第 I 相試験において、安全かつ良好な忍容性データと共に、用量依存的な PPAR $\delta$  標的遺伝子の発現増加を確認

## ASP0367の開発状況

- PMM対象の第 II/III 相試験を準備中（2021年1-3月に開始予定）
- DMD対象の開発も進行中（第 I b 相試験準備中） 

1: Gorman GS, et al., 2015

FDA: 米国食品医薬品局、PPAR $\delta$ : ペルオキシソーム増殖剤活性化受容体デルタ、ATP: アデノシン三リン酸、DMD: デュシェンヌ型筋ジストロフィー

# FOCUS AREAアプローチの進展(2/3): ASP7317 - 萎縮型加齢黄斑変性



開発プログラム全体の最適化のために、  
第 I b/II 相試験の protocols 改訂案をFDAへ提出

- 下記理由により、第 I b/II 相試験の症例組み入れが大幅に遅延
  - ✓ 試験対象となる重度の視力障害を有する患者数が非常に限られている上に、スクリーニング不適格率も高く、当初の想定より症例組み入れが難しいことが判明
  - ✓ 細胞移植手術後の免疫抑制中に新型コロナウイルスに感染すると、深刻で生命を脅かす合併症を引き起こす可能性があることを鑑み、現在も症例のスクリーニングおよび組み入れを中断している
- 開発プログラム全体の強化を目指した protocols 改訂案
  - ✓ 中等度の視力障害を有する患者も対象とする  
⇒ 適格症例の幅を拡大し、今後のPoC試験でも本患者層の組み入れを可能とする
  - ✓ タクロリムスおよびMMFによる免疫抑制療法を、より短期間のタクロリムス投与のみのレジメンへ変更する  
⇒ 高齢患者における免疫抑制に伴うリスクを軽減する
  - ✓ PoCパートは別試験として切り離す  
⇒ 第 I b相の結果に基づき最適な主要評価項目を選択することが可能となり、PoC試験デザイン策定に有用な情報を得られることで、PoC試験規模が縮小されるなど、結果的に開発プログラム全体の柔軟性を高める

**FDAからのフィードバックに基づき第 I b/II 相試験 protocols 改訂が  
最終化され次第、ASP7317開発計画を更新する予定**





# FOCUS AREAアプローチの進展(3/3): PRIMARY FOCUSのアップデート



Primary Focus (PF) の「ASIM/バイオロジー」を完了し、次世代研究に移行する

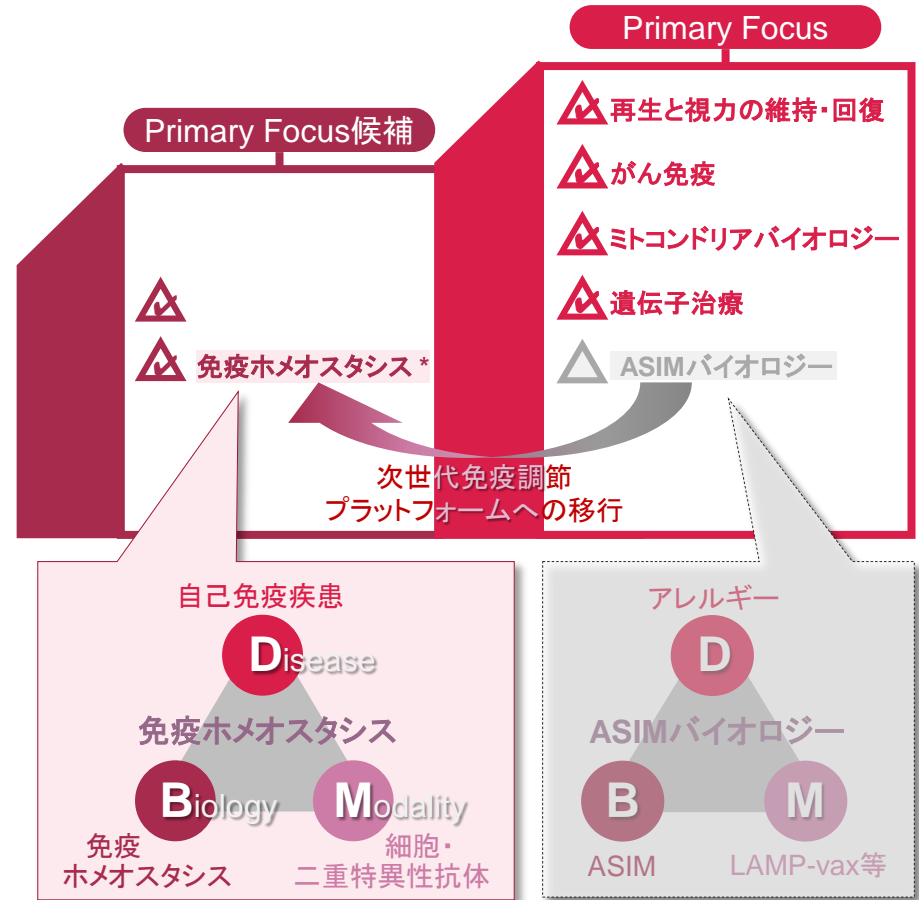
- ASIMバイオロジーの中心であるLAMP-vax技術は創薬研究を完了し、臨床試験における検証段階に到達した
  - ✓ ASP0892(ピーナツアレルギー適応): 第 I 相
  - ✓ ASP2390(ハウスダスト誘発アレルギー性鼻炎適応): 第 I 相
- 次世代免疫調節技術を探索し、ASIMとは作用機序やモダリティが異なるプラットフォーム群を特定した。人間が本来持つ恒常性維持の仕組みを利用した革新的治療の提供を目指し、社内研究(細胞医療)や研究提携(Pandion Therapeutics社)を開始した



この度、「ASIMバイオロジー」はプロジェクトを創出するPFの役割を完了したと判断した

「免疫ホメオスタシス\*」をPF候補として指定した

- ✓ 現在進行中のASP0892およびASP2390の臨床試験は継続する
- ✓ 現在指定されているPFの数は4つとなる



\* 研究コンセプトをより適切に反映させるため、本分野の名称を「複合免疫制御」から「免疫ホメオスタシス」という名称に変更  
ASIM: 抗原特異的免疫調節

# 2020年度に期待される主なパイプラインのイベント

18

## 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 (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)

## 申請 \*

<u>エンホルツマブ ベドチン</u>	<u>転移性尿路上皮がん; 白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の 治療歴あり (米国<sup>†</sup>、欧州、日本)</u> <u>転移性尿路上皮がん; PD-1/L1阻害剤の治療歴あり、 白金製剤未治療かつシスプラチン不適応 (米国<sup>‡</sup>)</u>
-------------------------	--

下線: 前回の決算発表時 (2020年度第1四半期決算; 2020年8月) からの更新

\* 試験結果判明、社内での評価・決定、必要に応じ当局との相談後に実施。当局への申請書類の提出

† 迅速承認を正規承認に変えるための追加申請

‡ 適応拡大のための追加申請

適応症等の詳細は「新薬開発状況」を参照



# Rx+プログラム：最新状況

(下線：2020年8月の2020年度第1四半期決算発表以降の更新)



19

強固な事業基盤確立に向けて確実に進捗

## フィットネスサービス事業 (Fit-eNce)：

- 神奈川県内のフィットネスクラブを通じて地域限定でサービス開始

## 運動支援アプリ：

- 医学系研究実施中

## デジタルセラピューティクス：

- BlueStar：製品開発中

## 光イメージングを応用した精密手術ガイド：

- ASP5354：第Ⅱ相試験実施中(2020年10月 FSFT達成)  
米国FDAからファストトラック指定を取得

## 極小の体内埋め込み型医療機器：

- Iota Biosciences, Inc. 買収に関する契約締結



# Rx+プログラムの進展(1/2): 光イメージングを応用した精密手術ガイド



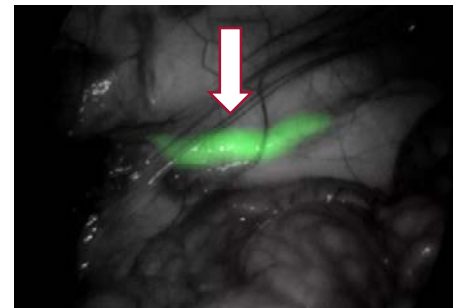
2020年10月第Ⅱ相試験においてFSFTを達成  
前臨床試験の結果から手術中に尿管を可視化する新たなアプローチとして、  
FDAからファストトラック指定を取得

## 医原性尿管損傷(IUI)

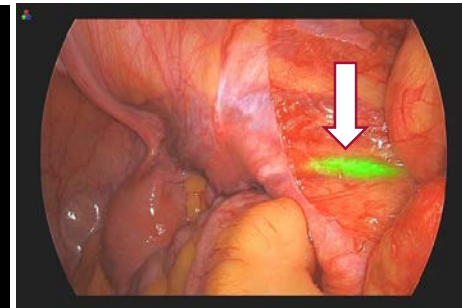
- 腹部および骨盤内手術の際、誤って尿管を傷つけてしまうことにより発生
- 米国における200万例を超える手術症例調査によると、IUIは死亡率が高く、入院期間の延長や医療費の増加とも関連した、アンメットメディカルニーズの高い外傷であることが示されている<sup>1</sup>
- IUIの発生を防ぐためには手術中に尿管を可視化することが有用と報告されている<sup>2</sup>
- 尿管を可視化する方法として、手術時に尿管にステントを挿入することで尿管の位置を把握する手術補助手技があるが、敗血症や慢性腎不全、腎機能障害の懸念があり普及していない<sup>3</sup>
- 非侵襲的に尿管を可視化できる有用な方法は承認されておらず、ASP5354のような新たな手段が求められている

## ASP5354の特徴

- 子宮摘出手術等、腹部および骨盤内手術において尿管の位置の把握を可能にする精密手術ガイド
- 尿管を可視化し、手術中に術者が尿管の位置を認識できるようになれば、IUIのリスクが低減すると期待される
- 現時点において、忍容性および安全性の問題は認められていない
- 前臨床及び、臨床試験の初期データにおいて尿管の可視化を確認



前臨床試験結果(ブタ)



臨床試験結果

# Rx+プログラムの進展(2/2): 極小の体内埋め込み型医療機器



## 米国Iota Biosciences, Inc.買収に関する契約締結

- Rx+ Story™実現に向けて注力する事業領域(スフィア)横断的に応用可能な最先端技術獲得
- 2019年8月からプロジェクトベースで進めてきた協働を拡大・加速し、商業化までの権利確定
- 画期的な極小体内埋め込み型医療機器に関する技術とバイオエレクトロニクス分野の世界トップタレントの獲得により、Rx+事業創出を加速
- iota powered by Astellasをバイオエレクトロニクスの中核拠点化



超音波による超小型化  
電力伝送、双方向データ通信



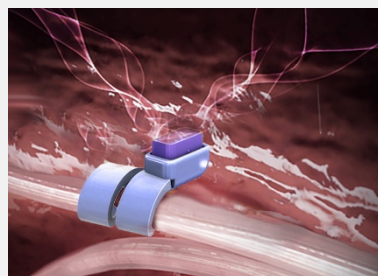
パーソナルデータを  
活用して発症や  
重症化を予防する



既存の医療手段が  
利用できない人の  
選択肢を広げる



身体機能を支えて  
活動的な暮らしを  
可能にする



局所・正確な生体センシング  
例) 酸素濃度、pH、圧力、温度




電気による生体組織への部位  
特異的刺刺激  
例) 神経、筋肉

**2020年12月10日(木)**  
**R&D ミーティング**  
**～Focus Areaアプローチの進捗～**

**2021年5月予定**  
**次期経営計画に関する説明会**

# 參考資料



# 2020年度第2四半期：費用項目

## コアベース：費用項目の増減

### 売上原価率

1.9 ppt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(+ 1.0 ppt))

### 販管費

7.1%増加 ↑

- ✓ 米国での売上拡大に伴うXTANDI共同販促費の増加
- ✓ 前年度2Qに損失評価引当金の戻入れによる一過性の減少(82億円)
- ✓ 上記2つを除くと前同比1.9%減少

### 研究開発費

6.4%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



# 2020年度2Q実績：地域別売上収益

25

(億円)	19年度2Q	20年度2Q	増減率
日本	1,833	1,442	-21.3%
米国	2,167	2,367	+9.2%
エスタブリッシュドマーケット	1,467	1,389	-5.4%
グレートチャイナ	294	296	+0.5%
インターナショナル	634	567	-10.5%

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

グレートチャイナ：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2Q実績：主要製品の売上

(億円)	19年度 2Q	20年度 2Q	増減率	為替の影響を 除いた増減率	20年度 通期予想*
XTANDI	1,950	2,255	+15.6%	+16.8%	4,646
ゾスパタ	57	110	+91.9%	+94.0%	231
PADCEV	-	60	-	-	130
OAB製品	1,038	961	-7.4%	-6.5%	1,979
ミラベグロン	788	800	+1.5%	+2.6%	1,679
ベシケア	251	162	-35.4%	-35.1%	300
プログラフ	962	896	-6.9%	-6.1%	1,820



PADCEVはSeagen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8月公表

# 2020年度通期業績 修正予想

(億円)	通期予想 (8月修正)	修正予想	差異
売上収益	12,565		
研究開発費	2,335		
コア営業利益	2,510		
コア当期利益	2,005		
<b>変更なし</b>			
<b>&lt;フルベース&gt;</b>			
営業利益	2,465	2,105	-360
当期利益	1,975	1,695	-280

# 為替レート(実績)

## 期中平均レート

通貨	19年度2Q	20年度2Q	変動
ドル	109円	107円	2円高
ユーロ	121円	121円	0円高

## 期首 - 期末レートの変動

通貨	19年度2Q	20年度2Q
ドル	3円高	3円高
ユーロ	7円高	5円安

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益: 53億円の減少、コア営業利益: 65億円の減少
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 +1.0 ppt

# 2020年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

為替レートの前提 (期中平均)	20年度通期予想
ドル	109円
ユーロ	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

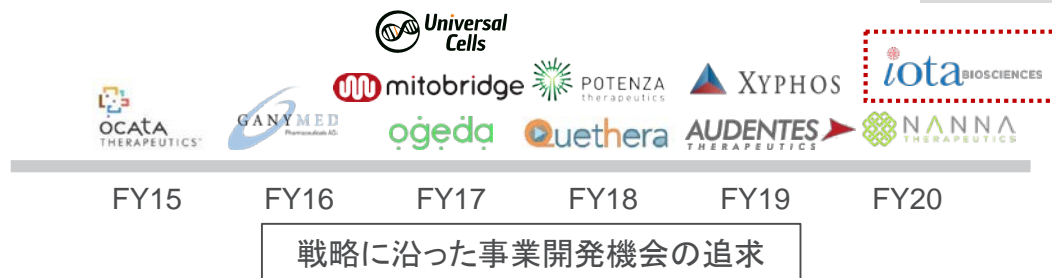
# バランスシートおよびキャッシュ・フローのハイライト

(億円)	20年3月末	20年9月末
総資産	23,152	22,370
現金及び現金同等物	3,184	2,867
親会社所有者帰属持分	12,892	13,296
親会社所有者帰属持分比率(%)	55.7%	59.4%

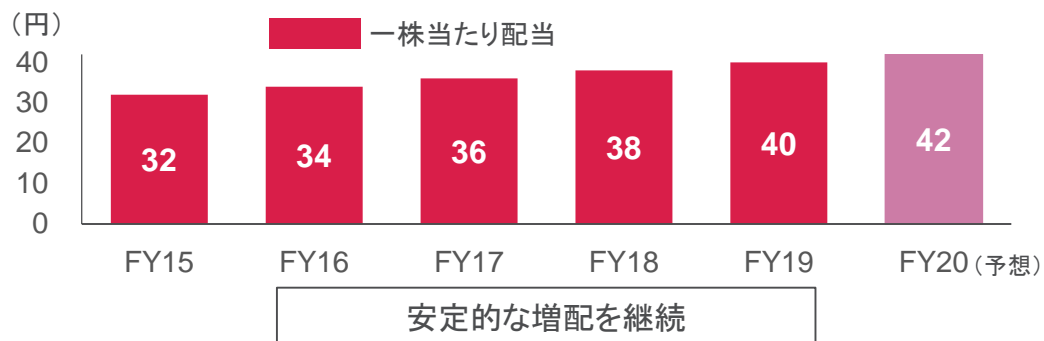
(億円)	19年度2Q	20年度2Q	19年度
営業CF	1,017	1,150	2,220
投資CF	-466	-383	-3,898
フリーCF	551	767	-1,678
財務CF	-460	-1,097	1,811
社債及び短期借入金の増減額	-	-1,420	3,260
長期借入れによる収入	-	800	-
配当金支払額	-358	-372	-735

# キャピタルアロケーション

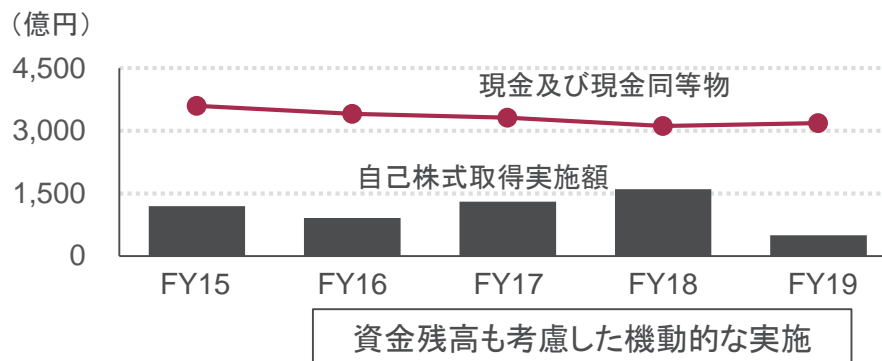
- 成長を実現するための事業投資を最優先



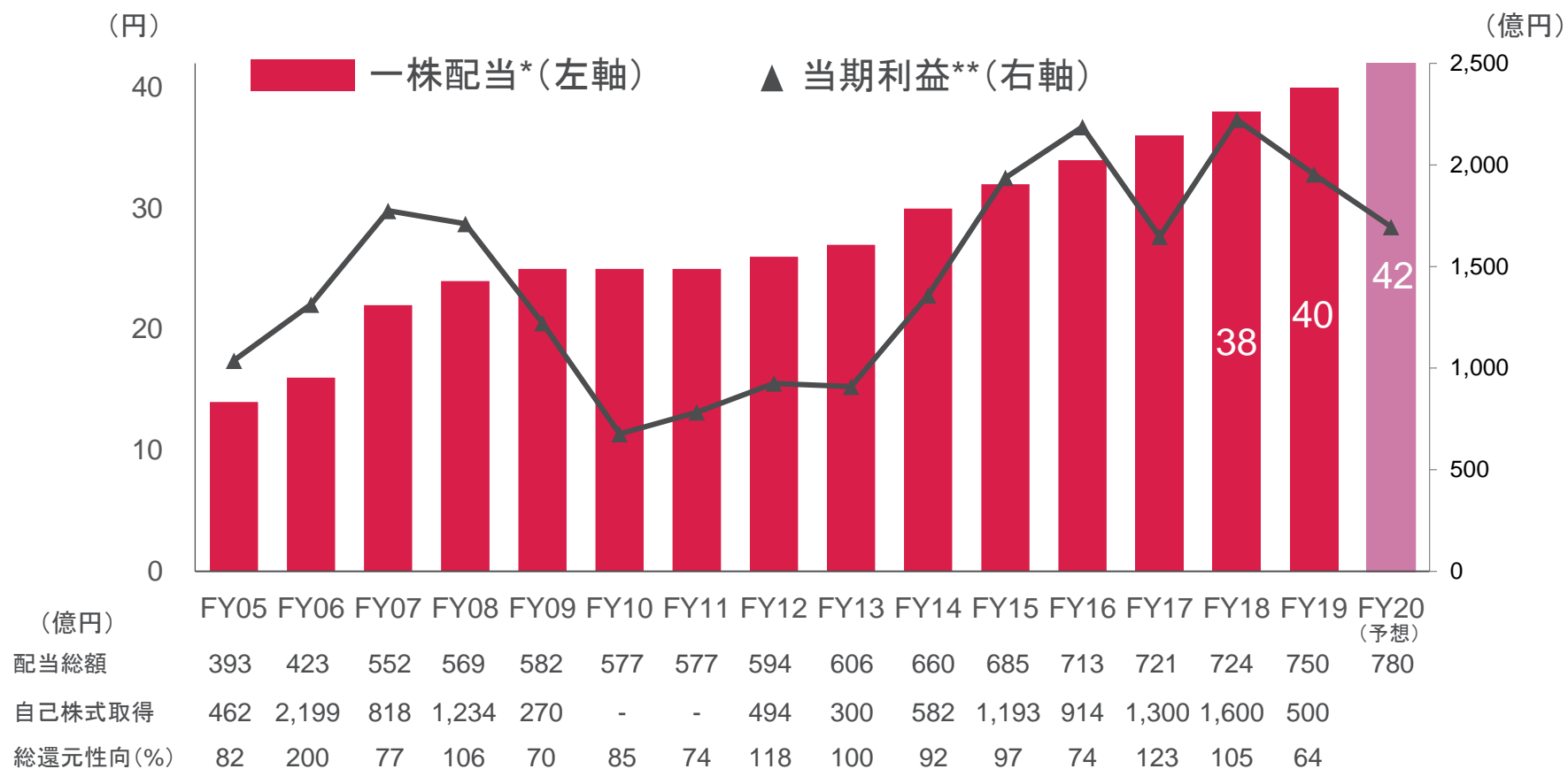
- 中長期的な利益成長に基づき、配当は安定的かつ持続的に向上



- 自己株式取得は機動的に実施



# 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10月現在

✓✓✓: 承認

✓✓: 申請

✓: 結果入手  
申請準備中

<b>エンザルタミド</b> 非転移性去勢抵抗性前立腺がん	✓✓✓	<b>エンザルタミド</b> 転移性去勢感受性前立腺がん (米国・日本)	✓✓✓	<b>エンザルタミド</b> 転移性去勢感受性前立腺がん (欧州)	✓✓	<b>エンザルタミド</b> 非転移性去勢感受性前立腺がん	✓✓✓
<b>ギルテリチニブ</b> 再発または難治性AML	✓✓✓	<b>エンホルツマブ ベドチン</b> 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)	✓✓✓	<b>エンホルツマブ ベドチン</b> 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)	✓✓✓	<b>ゾルベツキシマブ</b> 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	✓✓✓
<b>ロキサデュスタット</b> 慢性腎臓病に伴う貧血透析期(日本)	✓✓✓	<b>ロキサデュスタット</b> 慢性腎臓病に伴う貧血保存期(日本)	✓✓	<b>ロキサデュスタット</b> 慢性腎臓病に伴う貧血透析期・保存期(欧州)	✓✓	<b>ギルテリチニブ</b> AML(造血幹細胞移植後の維持療法)	✓✓
						<b>ギルテリチニブ</b> AML(寛解導入化学療法後の維持療法)	✓✓
						<b>ギルテリチニブ</b> AML(未治療、強力な化学療法不適応)	✓✓
						<b>ギルテリチニブ</b> AML(未治療、強力な化学療法適応)	✓✓
						<b>fezolinetant</b> 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

## 第Ⅰ相

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)

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)

ASP0367/MA-0211 (PMM)

bleselumab (rFSGS)

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  
(mUC、MIBC)

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:欧州)

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)

ミラベグロン  
(小児NDO:米国)

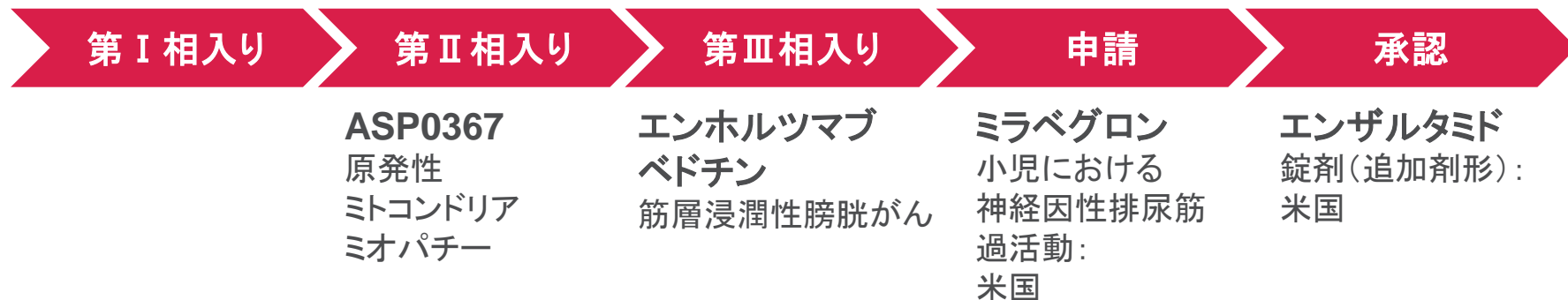
■ がん ■ Focus Areaアプローチ(がん免疫を除く) ■ その他

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: 2020年度第1四半期決算発表(2020年8月)以降の進捗

35



## 開発中止

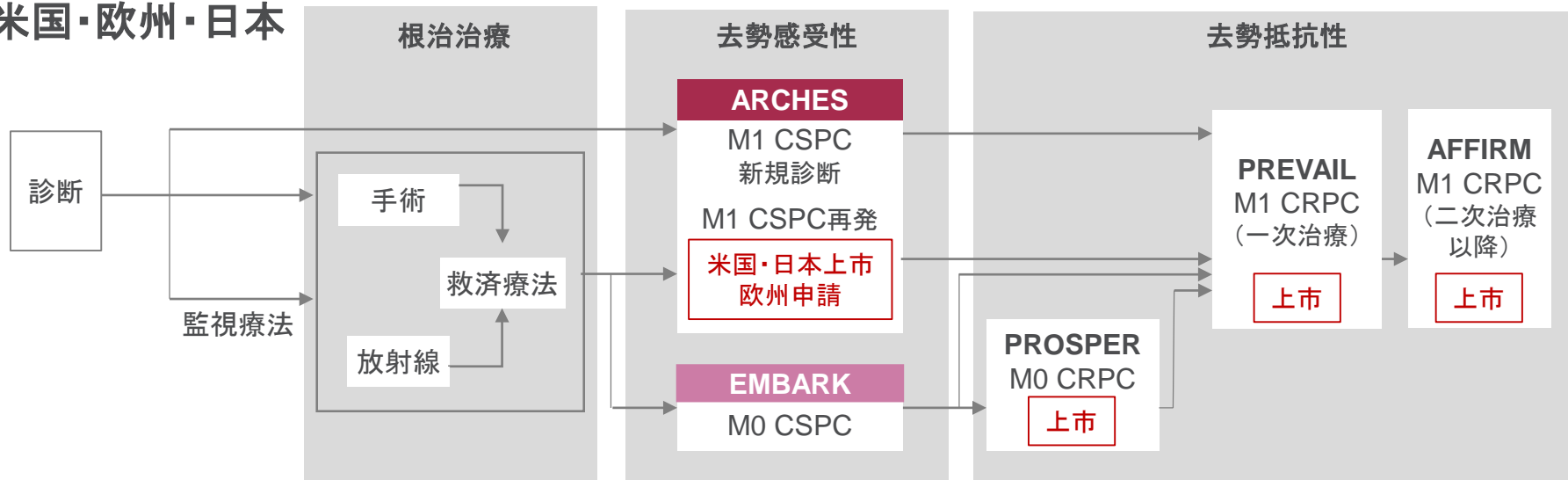
**ASP1650:** 精巣がん(第 II 相)  
**ASP8302:** 低活動膀胱(第 II 相)  
**ASP1235/AGS62P1:** 急性骨髄性白血病(第 I 相)  
**ASP8374/PTZ-201:** がん(第 I 相)

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(1/2)

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



# エンザルタミド(2/2): 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

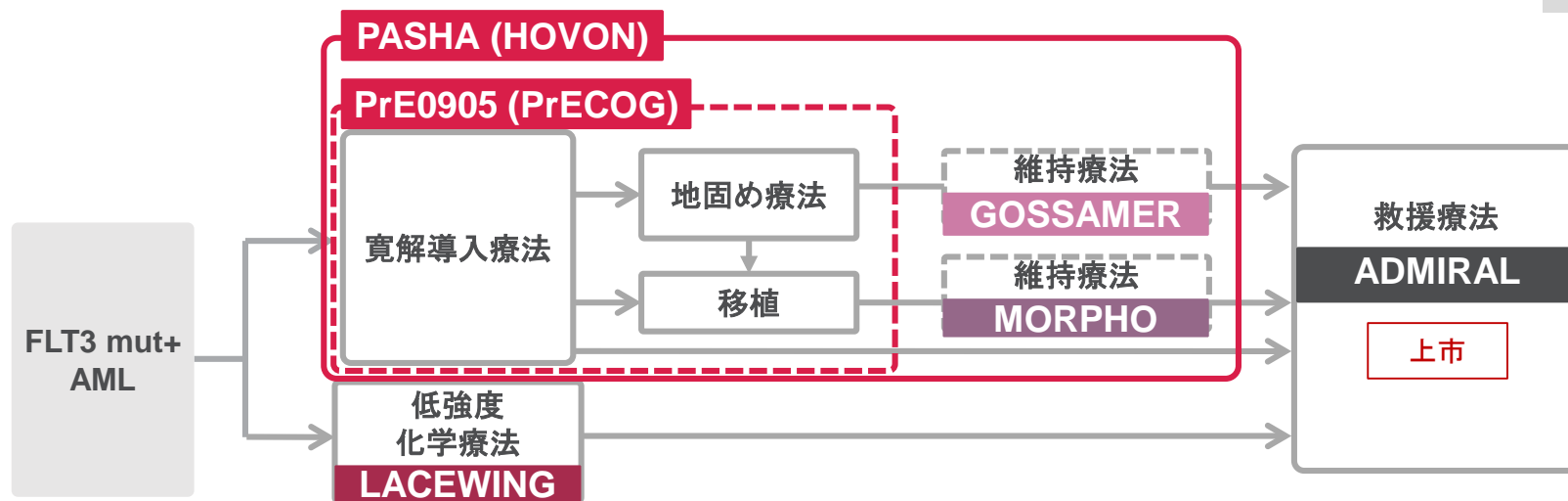
病期	<div style="display: flex; justify-content: space-between; align-items: center;"> <span style="background-color: #333; color: white; padding: 2px 5px; border-radius: 10px;">早期</span> <span style="background-color: #333; color: white; padding: 2px 5px; border-radius: 10px;">後期</span> </div>					
	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 <sup>*</sup> 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 0.17 ✓ 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)	(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



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

# ギルテリチニブ: FLT3阻害剤



再発または難治性	第Ⅲ相: ADMIRAL	単独療法と救療療法との比較 (2:1)	n=371	米国・日本・欧州で上市 2020年3月に中国で申請(優先審査に指定)
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



下線: 前回の決算発表時(2020年度第1四半期決算; 2020年8月)からの進捗

FLT3 mut+: FLT3遺伝子変異陽性、AML: 急性骨髄性白血病、FSFT: 最初の症例への投与、

HOVON: The Haemato Oncology Foundation for Adults in the Netherlands、BMT-CTN: Blood and Marrow Transplant - Clinical Trial Network

# エンホルツマブ ベドチン(EV): ネクチン-4を標的とするADC(1/3)

## 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mUC; EV単剤 vs. 化学療法	n=608	2020年9月に主要評価項目(OS)達成 (中間解析結果に基づく)
第Ⅲ相: EV-302	治療歴がなく白金製剤適応のmUC; EV + Pembro vs. 化学療法	n=760	FSFT: 2020年4月 EV-103試験のEV+Pembro併用で認められた 良好な有効性データおよび転移性尿路上皮がん 一次治療体系における最近の動向をふまえ、 C群(EV+Pembro+白金製剤併用群)を中止
第Ⅲ相: EV-303 /KEYNOTE-905	シスプラチン不適応のMIBC; Pembro +/- EV(周術期)+ RC vs. RCのみ	n=836	2020年7月に EV + Pembro併用群を追加
第Ⅲ相	シスプラチン適応のMIBC		準備中(Seagen社およびMerck社との共同)
第Ⅱ相: EV-201	PD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC; EV単剤 コホート1: 白金製剤治療歴あり コホート2: 白金製剤未治療かつ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: 2020年10月に良好なORR結果入手
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	コホートA - GおよびK(mUC) A-G: EVとPembroの併用、EVと他の化学療法の併用 K: EV単剤 vs. EV + Pembro コホートHおよびJ(シスプラチン不適応MIBC; RC適応、術前投与): 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
第Ⅱ相: EV-203	<ブリッジング試験(中国)> 白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC; EV単剤	n≈40	準備中(IND提出済)

## 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
----------------	---	-------	---------------



下線: 前回の決算発表時(2020年度第1四半期決算; 2020年8月)からの進捗

mUC: 転移性尿路上皮がん、OS: 全生存期間、Pembro: ペムブロリズマブ、FSFT: 最初の症例への投与、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、RC: 根治的膀胱摘除術、IND: 治験許可申請

# エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/3) : 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	<b>コホートA</b> EV + Pembro シスプラチン不適応 1L	<b>コホートD</b> EV + Cis, 1L	<b>コホートG</b> EV + Cis/Carbo + Pembro 1L
			<b>コホートE</b> EV + Carbo, 1L	<b>コホートB</b> (オプション) EV + Pembro, 2L	<b>コホートF</b> (オプション) EV + ゲムシタビン 1L or 2L
筋層浸潤性 膀胱がん			<b>コホートH</b> EV単剤 シスプラチン不適応	<b>コホートJ</b> 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)

エンホルツマブ ベドチンとペムブロリズマブの併用をシスプラチン不適応患者における一次治療として評価した、EV-103試験コホートKおよび他コホートのデータが、米国での迅速承認プログラムに基づく申請をサポートする可能性あり



# エンホルツマブ ベドチン(3/3)：尿路上皮がん患者数

年間の 尿路上皮がん 患者数	全ての ステージ (新規)	MIBC	mUC		
		膀胱摘除術 施行後	Total (新規+再発)	薬物治療 (一次治療)	薬物治療 (二次治療以降**)
米国	79,000	20,000	19,000	15,000	8,000
欧州*	118,000	32,000	29,000	27,000	12,000
日本	39,000	10,000	8,000	7,000	3,000
中国	101,000	24,000	29,000	24,000	9,000

今後、新薬の登場により薬物治療患者数は増加する可能性あり



\* 欧州：イギリス、フランス、イタリア、ドイツ、スペイン

\*\* 二次治療以降：白金製剤やPD-1/L1阻害剤などの治療歴あり



# 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<sup>1</sup>
- 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<sup>2,3</sup>
- ステージ4の胃がんの全生存期間の中央値は10-15カ月<sup>4,5</sup>

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<sup>1</sup>

## Women's Health Initiative (WHI) の臨床研究<sup>2</sup>

- 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	12週(二重盲検)時点の LSLV達成
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	新規症例スクリーニングを停止

### 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	FSFT: 2020年8月

日本: 開発計画を検討中 (日本ローカル開発を予定)

下線: 前回の決算発表時 (2020年度第1四半期決算; 2020年8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. LSLV: 最後の症例の観察終了、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:  $1 \times 10^{14}$  vg/kg

コホート2:  $3 \times 10^{14}$  vg/kg

パート2: ピポタル用量拡大コホート ( $3 \times 10^{14}$  vg/kg)

n=26

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

# 変化する医療の最先端へ

