

2020年度決算概況



2021年4月27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 連結業績および
2021年度 連結業績予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

III

経営計画 2018 レビュー

2020年度業績

(億円)	2019年度	2020年度	増減	増減率	20年度 予想	達成率
売上収益	13,008	12,495	-513	-3.9%	12,565	99.4%
売上原価	2,767	2,461	-307	-11.1%		
売上収益比率	21.3%	19.7%	-1.6 ppt			
販売費及び 一般管理費	4,993	5,043	+50	+1.0%		
研究開発費	2,242	2,245	+3	+0.1%	2,335	96.1%
無形資産償却費	212	238	+26	+12.3%		
コア営業利益	2,778	2,514	-264	-9.5%	2,510	100.1%

<フルベース>

その他の収益	122	76	-45	-		
その他の費用	459	1,230	+770	-		
営業利益	2,440	1,361	-1,079	-44.2%	2,105	64.6%
税引前利益	2,454	1,453	-1,000	-40.8%	2,095	69.4%
当期利益	1,954	1,206	-748	-38.3%	1,695	71.1%

2020年度業績：前期実績との比較

- 売上収益・コア営業利益は前期比較で減少
 - ✓ 成長を支える主要製品の売上は順調に拡大
 - ✓ 独占販売期間満了、日本での販売契約終了による売上の減少
 - ✓ 特に第1四半期におけるCOVID-19の影響による減少
 - ✓ 販管費は微増、研究開発費はほぼ横ばい
- フルベース：営業利益、当期利益は減少
 - ✓ その他の費用として無形資産の減損損失を計上：
 - ASP8374の開発中止(2Q: 302億円)
 - AT132の開発計画の見直しに伴う資産価値の低下(4Q: 588億円)

2020年度業績：業績予想との比較

- 売上収益は若干の未達（為替の影響を除くと達成）
コア営業利益は達成
 - ✓ 為替の影響（売上：-118億円 コア営業利益：-65億円）
 - ✓ がん領域の主力品は順調に推移
 - ✓ 中国において、保険償還の開始タイミングの遅れや集中購買（VBP: Volume Based Procurement）の影響により予想未達
 - ✓ 研究開発費は若干の未消化
- フルベース：営業利益、当期利益は未達
 - ✓ 業績予想に織り込んでいない無形資産の減損損失の計上：
AT132の開発計画の見直しに伴う資産価値の低下（4Q: 588億円）

2020年度業績：売上収益の詳細

がん領域の主力品は力強い成長を継続

2020年度実績

前期比

XTANDI	4,584億円	+584億円
ゾスパタ	238億円	+96億円
PADCEV	128億円	+110億円
エベレンゾ	11億円	+9億円
ミラベグロン	1,636億円	+20億円
日本の新製品	705億円	+93億円

Xtandi
(enzalutamide)
40 mg capsules

XOSPATA
gilteritinib
40mg tablets

PADCEV
enfortumab vedotin-ejfv
Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials

がん領域 3製品合計 前期比

+790億円

連結売上収益は前期比 -513億円

主な減少要因：

- ✓ 独占販売期間満了品 (-557億円)、日本での販売契約終了品 (-363億円)などが減少
- ✓ 特に第1四半期におけるCOVID-19の影響による減少



独占販売期間満了品：2019年度・2020年度に独占販売期間満了を迎える製品（ベシケア、タルセバ、セレコックス、ファンガード/マイカミン）

日本での販売契約終了品：ミカルディスファミリー、シムビコート、KMバイオ製品

日本の新製品：レパーサ、スーグラファミリー、リンゼス、ダフクリア、ビーリンサイト、イベニティ、スマイラフ

2020年度業績： 主要製品のビジネスアップデート

XTANDI

為替の影響を除くグローバル売上は予想を達成。米国はCOVID-19の影響（新規患者低下、治療開始の遅れ）により予想に対して未達となったが、物量で前期比20%増加しており、今後も継続成長を見込む。中国においてM1 CRPCの適応で保険償還開始（2021年3月）

ゾスパタ

米国、欧州において売上が拡大。特に米国での好調な業績によりグローバル売上は予想を上回り達成。シンガポール（2021年2月）や中国（2021年4月）で新発売。欧州では、英国やドイツに加え、2021年3月からイタリアでも保険償還開始

PADCEV

早期の市場浸透により売上は順調に拡大、通期予想を達成（現地通貨ベース）。EV-301試験の結果がNew England Journal of Medicineに掲載。NCCNガイドラインにおいて、PADCEVがこれまでのカテゴリー2Aから最もエビデンスレベルの高いカテゴリー1へ変更

エベレンゾ

日本において2020年11月の適応追加（透析導入前の慢性腎臓病に伴う貧血）に加え、2020年12月に2週間の投薬期間制限が解除されたことで、主要施設への採用が順調に進んでおり、売上も着実に拡大。現在、HIF-PH阻害薬内において処方箋シェアトップ

ミラベグロン

COVID-19の影響による受診抑制で需要が減少しグローバル売上は微増に留まり、予想に対しては若干未達。中国において2021年3月から保険償還開始。米国では小児データがFDAの規定を満たしたことにより、ミラベトリックの独占販売期間が6ヵ月延長

日本の新製品

スーグラファミリー、イベニティの売上が増加。一方で、COVID-19の影響を受け情報提供活動の制限や受診抑制等もあり予想に対しては未達

2021年度通期業績予想

(億円)	2020年度 実績	2021年度 予想	増減率
売上収益	12,495	13,230	+5.9%
販売費及び 一般管理費	5,043	5,410	+7.3%
研究開発費	2,245	2,420	+7.8%
コア営業利益	2,514	2,700	+7.4%
コア当期利益	2,099	2,130	+1.5%
<フルベース>			
営業利益	1,361	2,650	+94.8%
当期利益	1,206	2,090	+73.3%

2021年度通期業績予想の概要

- 2021年度は増収・増益を見込む
コア営業利益率20%を予想
- 主要製品の売上は継続成長
独占販売期間満了、国内での販売契約終了、製品譲渡や薬価改定の影響による
売上の減少をオフセット
 - ✓ 増加要因： XTANDI、ゾスパタ、PADCEV、エベレンゾ、ミラベグロン
 - ✓ 減少要因： ベシケア(日本)、マイカミン／ファンガード、販売契約終了・製品譲渡(セレコックス、リピートル、エリガード、欧州レガシー品など)、製品譲渡対価収入の反動(ディフィクリア、プロトピック)、日本の薬価改定
- Primary Focusへの研究開発費や新製品の立ち上げ費用など、重点戦略領域に優先的に資源を配分
一方で企業の競争力、価値向上に寄与しないコストを徹底的に見直し
- 一株当たり配当金： 8円増配の50円を予想

2021年度通期業績予想：主力成長ドライバー

11

2021年度予想

2021年度の取り組み、成長要因

XTANDI

5,572 億円
前期比 **+988(+21.5%)**

- 早期ステージの前立腺がん市場でさらなるシェア拡大
- エスタブリッシュドマーケットやインターナショナルマーケットでの適応追加(M1 CSPC)による売上拡大
- M1 CRPCの適応で保険償還が開始された中国での継続成長

ゾスパタ

367 億円
+128(+53.8%)

- 米国、日本においてマーケットリーダーとしてのポジショニング確立、他地域でのマーケットシェア拡大
- 2021年4月に発売となった中国でも売上貢献を見込む
- 製品認知度向上やFLT3遺伝子変異検査実施率の増加

PADCEV

201 億円
+73(+57.1%)

- 米国では現在の適応症において推奨治療オプションとしてのポジショニングを確立。適応追加により、新たな患者層への浸透を図る
- 日本やエスタブリッシュドマーケットでの発売

エベレンゾ

86 億円
+74(+661.0%)

- 日本においてHIF-PH阻害薬内でのマーケットリーダーとしてのポジショニングを維持しながら、さらなる成長を見込む
- エスタブリッシュドマーケットやインターナショナルマーケットでの市場投入



本日の内容

12

I

2020年度 連結業績および
2021年度 連結業績予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

III

経営計画 2018 レビュー

重点後期開発品：最新状況

(下線：2021年1月の2020年度第3四半期決算発表以降の更新)

13

エンザルタミド

M0 CRPC

- ・ 欧州：添付文書へのOSデータ追加について2021年1月にCHMPが勧告を採択

M1 CSPC

- ・ 欧州：2021年3月にCHMPが販売承認勧告を採択
- ・ 中国：第Ⅲ相試験進行中

M0 CSPC

- ・ 第Ⅲ相試験進行中

ギルテリチニブ

R/R AML

- ・ 中国：2021年1月に条件付き承認取得（完全承認はCOMMODORE試験結果による）。第Ⅲ相COMMODORE試験はあらかじめ計画されていた中間解析の結果に基づき、有効性の観点で症例組み入れを早期に終了

より早期ステージのAML

- ・ 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：
2021年2月に米国（2つのsBLA）、
2021年3月に欧州および日本で申請。
EV-301試験データをASCO GU 2021
およびNEJMで発表。EV-201試験
コホート2データをASCO GU 2021で
発表
- ・ 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：臨床試験開始に向け準備中

筋層浸潤性膀胱がん

（ペムプロリズマブ併用）

- ・ 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

AT132 (resamirigene bilparvovec) XLMTM

- ・ 試験再開に向け活動中。グローバル申請に向け、方針を当局と協議予定

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

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

化学療法に伴う貧血

- ・ 第Ⅱ相試験進行中

fezolinetant

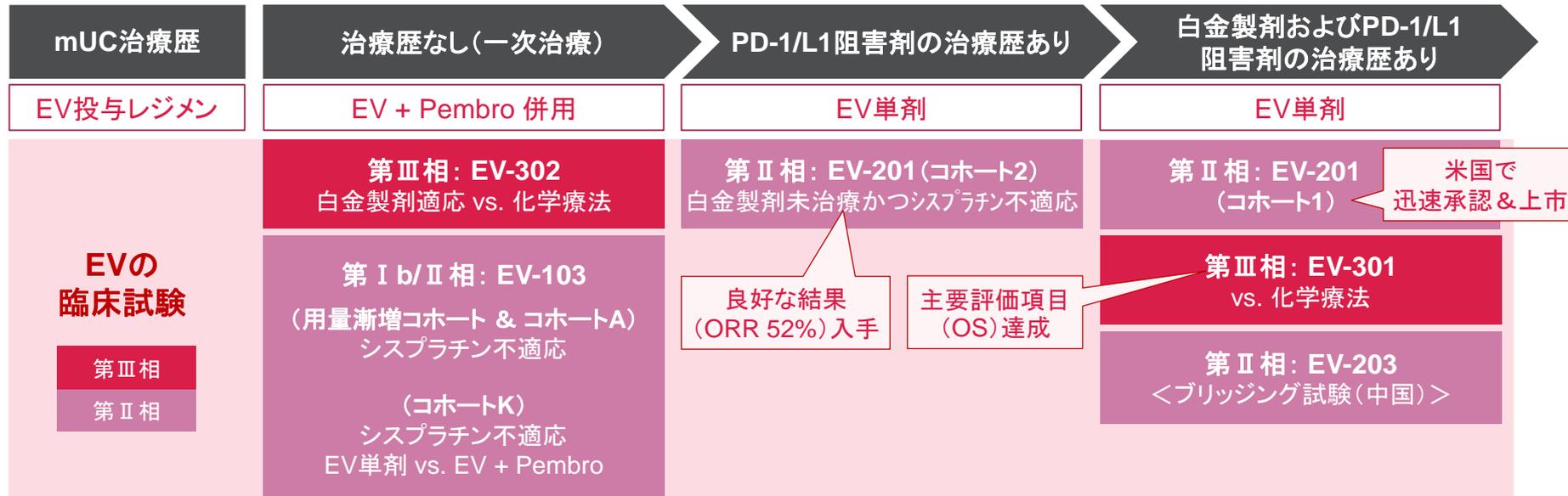
閉経に伴う血管運動神経症状

- ・ 米国・欧州：第Ⅲ相試験進行中。2本の第Ⅲ相ヒポタル試験（SKYLIGHT 1 & 2）の12週二重盲検期間トップライン結果において主要評価項目を達成
- ・ 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(EV) (1/2): 転移性尿路上皮がん(mUC)プログラムの最新状況

米国、欧州および日本で申請

- 米国: 2021年2月に申請(以下2つのsBLA)、PDUFA dateは2021年8月17日に設定^a
 1. EV-301試験結果を基に、迅速承認(Accelerated Approval)を正規承認に変更する
 2. EV-201試験コホート2結果を基に、PD-1/L1阻害剤の治療歴がありシスプラチン不適応の患者へ適応を拡大する
- 欧州: EV-301試験結果を基に、2021年3月に申請^b
- 日本: EV-301試験およびEV-201試験結果を基に、2021年3月に申請



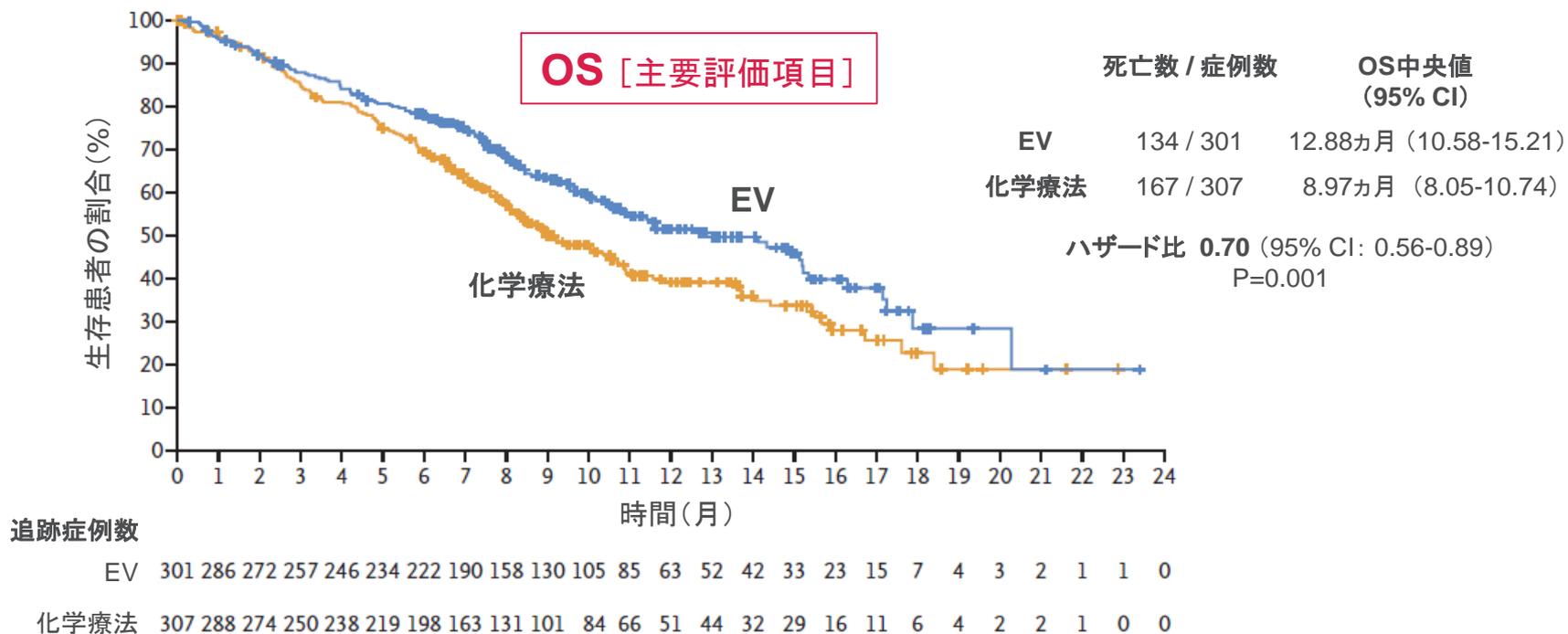
a: 優先審査に指定、Real-Time Oncology Review pilot programおよび Project Orbis適用、b: 迅速審査に指定



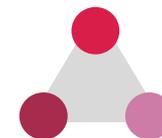
エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/2) : 第Ⅲ相EV-301試験結果

白金製剤を含む化学療法およびPD-1/L1阻害剤による治療歴のある
進行性尿路上皮がん患者において

- ✓ 対照の化学療法と比べて、EV単剤は全生存期間(OS)を有意に延長
- ✓ 安全性プロファイルは、これまでのEVの試験で認められたものと同様



Focus Areaアプローチの進展：遺伝子治療



遺伝子治療分野のグローバルリーダーとしてのポジションを確立する

アステラスにおける遺伝子治療のCenter of Excellence「Astellas Gene Therapies」

- 遺伝子治療プログラムの推進において、より効果的・効率的なオペレーション体制を整えるために、2021年4月1日付で子会社であるAudentes Therapeuticsを社内統合し、「Astellas Gene Therapies」を設立
- 遺伝子治療の領域に特化した研究・製造部門、開発部門、コマーシャル部門を設置

AT132の現況（適応症：XLMTM）

- 臨床試験（ASPIRO試験）再開に向け活動中
 - ✓ AT132低用量での投与再開を2021年4-6月に予定
- グローバル申請に向け、方針を当局と協議予定
 - ✓ FDAとの次回会議を2021年4-6月に予定
 - ✓ EMAとの会議を2021年7-9月に予定

AT845の現況（適応症：ポンペ病）

- 最初の臨床試験として、遅発型ポンペ病の成人患者対象第I/II相試験（FORTIS試験）が進行中
 - ✓ 2021年に3月に最初の症例へ投与

2021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)
	エンホルツマブ ベドチン	PD-1/L1阻害剤の治療歴がありシスプラチン不適応のmUC(米国 ^a) 白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴のあるmUC(米国 ^{a,b} 、欧州 ^c) 治療歴のあるmUC(日本)
	ロキサデュスタット	慢性腎臓病に伴う貧血(欧州)
申請	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 ^d)
データ判明	fezolinetant	第Ⅲ相試験SKYLIGHT 1、2および4の52週データ

適応症等の詳細は「新薬開発状況」を参照

a: 優先審査に指定、Real-Time Oncology Review pilot programおよびProject Orbis適用

b: 迅速承認 (Accelerated Approval) を正規承認に変更するsBLA

c: 迅速審査に指定

d: 条件付き承認を完全承認に変更するためのsNDA

Rx+プログラムの進展(1/2): AIを用いたホルタ解析装置用プログラムの開発



エムハート社との共同研究を通じてAIを用いたホルター心電図検査のデータ解析アルゴリズムを開発

- コンピュータへの負荷が小さく、動作が軽い、効率的な解析アルゴリズムの開発に成功（特許出願中）
- 国際標準規格であるMFERで記述されたデータであれば、ホルター心電計の種類を選ばずにクラウド上で解析が可能
- 2021年3月に医療機器プログラムとして認証取得、2021年度中の事業化（エムハート社の心電図解析サービスに搭載）を予定
- 更なる精度向上と効率化を目指し、臨床で得られた心電図データを用い深層学習させて次のバージョンを開発する予定



販売名	マイホルターII
クラス分類	クラスII(管理医療機器)
認証番号	303AGBZX00015000

Rx+プログラムの進展(2/2) : 2021年度に期待される主なイベント



スフィア *	プログラム	期待される主なイベント
慢性疾患の重症化予防	運動支援フィットネス サービス事業(Fit-eNce)	自宅で実施可能なサービスの パイロット販売開始
	運動支援ゲームアプリ事業	パイロット販売開始
	BlueStar	臨床試験開始(日本)
	ホルタ解析装置用 プログラム(マイホルターII)	サービス事業化
手術・診断精度向上による 患者アウトカム最大化	ASP5354	第II相試験のトップライン結果入手

サステナビリティ: Access to Health



TBアライアンスと新規結核治療薬のリード化合物創出に向けた共同研究契約を締結

- 2017年10月から結核治療薬の探索に関する共同研究を行ってきた  **TB Alliance**
- 今回の共同研究では、探索研究から得られたヒット化合物群を活用し、薬理活性、薬物動態、安全性を改善したリード化合物を創出することを目指していく
- 公益社団法人グローバルヘルス技術振興基金から資金提供を受け実施する

Access to Healthについての考え方

- 革新的な医薬品を研究、開発し、患者さんへ届けることにより、Access to Healthの向上に注力
- 「イノベーションの創出」「入手可能性の向上」「保健システムの強化」「健康に対する知識・理解の向上」という4つを特定

その他取り組み(イノベーションの創出)

- 社会的利益を追求する研究開発プロジェクトとして、住血吸虫症に対する小児用製剤開発のプロジェクトに参画
- 社外とのパートナーシップを通じて、様々なAccess to Healthを改善するための取り組みを実施中

Access to Health活動の更なる推進

- 新経営計画においても、サステナビリティは戦略目標の一つを構成することとなり、Access to Healthの取り組みはその中核となる



本日の内容

21

I

2020年度 連結業績および
2021年度 連結業績予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

III

経営計画 2018 レビュー

経営計画 2018レビュー（戦略面）

経営計画2018の3つの戦略課題への取り組みが計画どおり順調に進展
革新的な治療薬を生み出すための土台を構築

戦略目標 1

製品価値の最大化と
Operational Excellenceの更なる追求

製品価値の最大化

- ✓ XTANDI、ミラベグロンの売上は順調に拡大。特にXTANDIは策定時の計画を上回る成長
- ✓ 日本市場での継続的な新製品の投入
- ✓ 6つの重点後期開発品は、計画に沿って順調に進展し、多くの重要なマイルストーンを達成。ゾスパタ、PADCEV、エベレンゾは市場投入後、順調な立ち上がり

Operational Excellenceの追求

- ✓ 販売促進費の優先順位付けや、グローバル調達、旅費削減を推進（約500億円*の利益改善）

* 2018年度-2020年度累計

戦略目標 2

Focus Areaアプローチによる
価値創造

- ✓ 特定したPrimary Focusにおける開発プログラムの進展
- ✓ 革新的なプロジェクトを継続的に創出するために、提携や買収により戦略に合致したケイパビリティを強化
- ✓ Primary Focus間で革新的なプラットフォームを相互利用することにより、有望なプロジェクトを創出

戦略目標 3

Rx+プログラムへの挑戦

- ✓ Rx+事業の基盤構築を推進
- ✓ 様々な異分野のノウハウ・技術との提携を実現
- ✓ 複数のRx+プログラムが事業化に向けて順調に進展

重点後期開発品の進展

経営計画2018で掲げた申請目標を全て達成し、グローバルでの承認も取得

プロジェクト	適応症	開発フェーズ			
		第Ⅱ相	第Ⅲ相	申請	承認
エンザルタミド	転移性去勢抵抗性前立腺がん			○ → ●	中国
	非転移性去勢抵抗性前立腺がん			○ → ●	米国・欧州・中国
	転移性去勢感受性前立腺がん		○ → ●	●	欧州
	非転移性去勢感受性前立腺がん		●		
ギルテリチニブ	再発または難治性のAML		○ → ●		日本・米国・欧州・中国
	未治療AML、強力な化学療法適応	○ → ●			
	未治療AML、強力な化学療法不適応		●		無益性の観点で第Ⅲ相試験早期中止
	AML、造血幹細胞移植後の維持療法		●		
	AML、化学療法後の維持療法		●		
エンホルツマブ ペドテン	mUC、治療歴あり	○ → ●		●	米国
	mUC、治療歴なし(一次治療)	○ → ●			
	筋層浸潤性膀胱がん		●		
	その他の種類の固形がん	●			
ゾルベツキシマブ	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん		●		
	膵臓腺がん	●			
ロキサデュスタット	慢性腎臓病に伴う貧血		○ → ●		日本
	化学療法に伴う貧血	●		○ → ●	欧州
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	○ → ●			米国・欧州

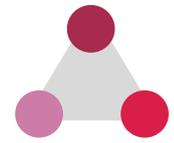
AML: 急性骨髄性白血病、mUC: 転移性尿路上皮がん

● 2021年4月時点(2018年5月時点○から開発フェーズが進展)

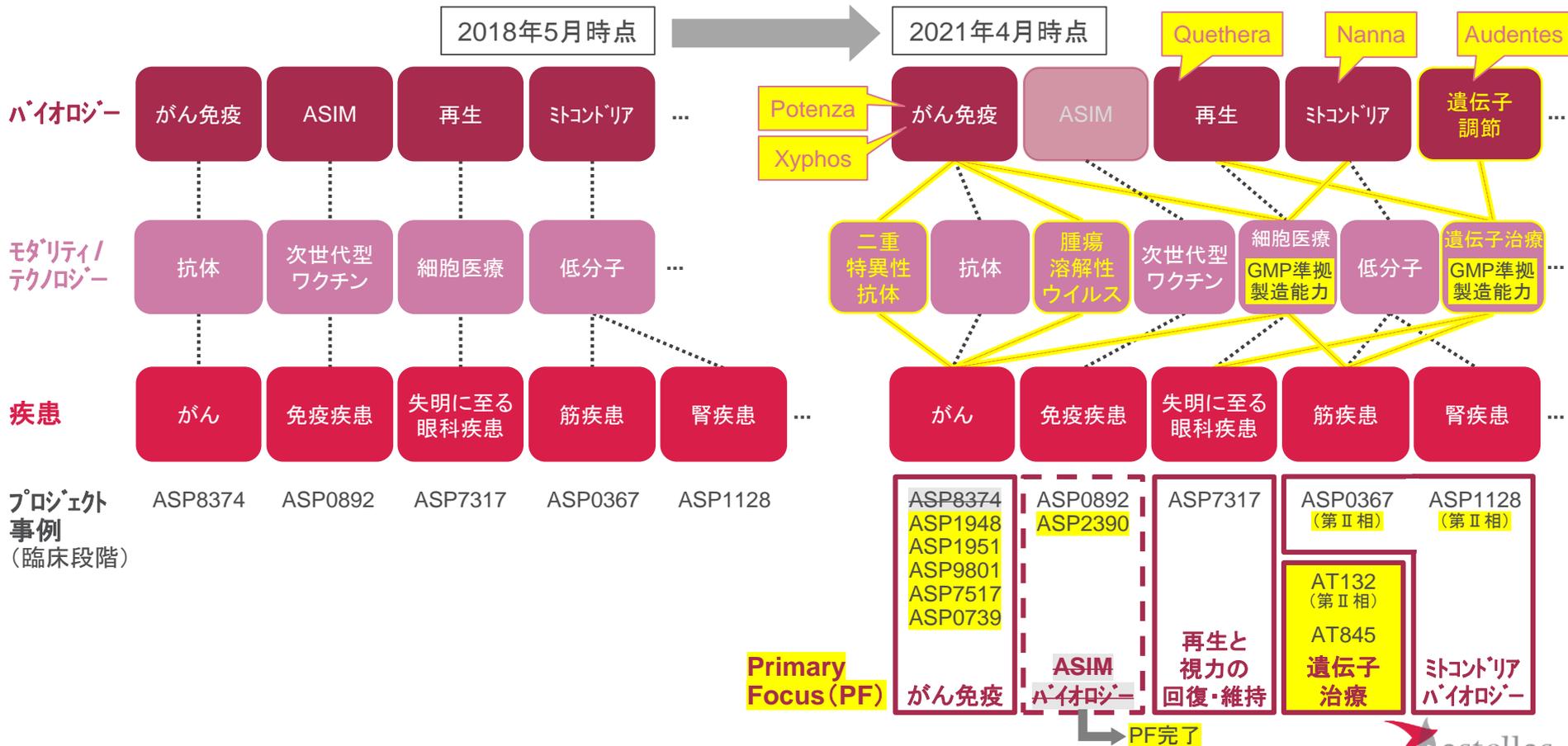
● 2021年4月時点(2018年5月時点から開発フェーズに変更なし)



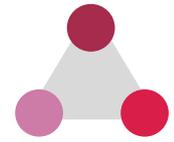
Focus Areaアプローチの進展(1/2): Primary Focus間の有機的なつながり



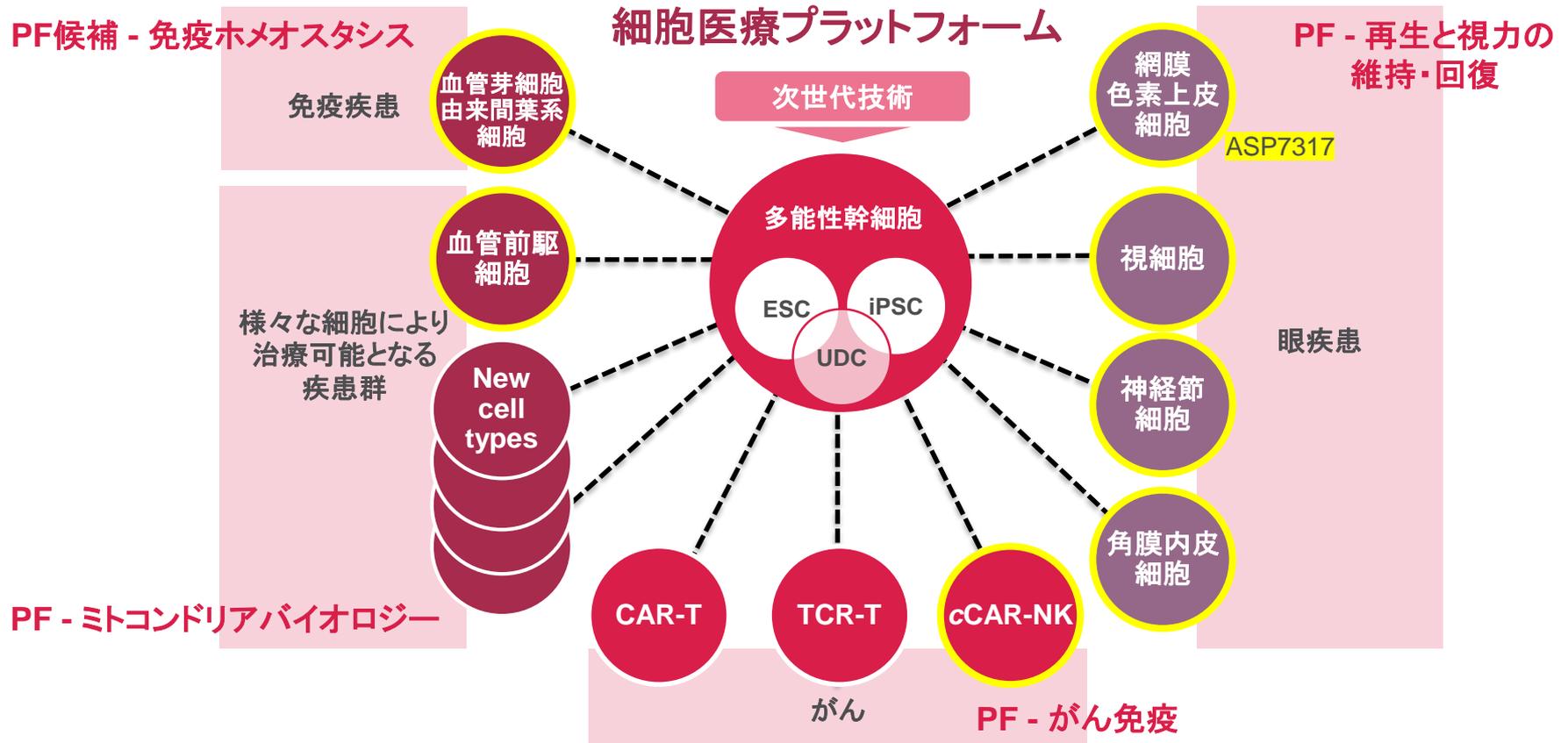
Primary Focus間で革新的なプラットフォームを相互利用することにより、
有望なプロジェクトを創出



Focus Areaアプローチの進展(2/2): 細胞医療プラットフォームの有機的活用



複数のプロジェクトで細胞分化プロトコルを確立



黄: 細胞分化プロトコルを確立済



Rx+プログラムの進展



強固な事業基盤確立に向けて確実に進捗

- ✓ Rx+ Story (Rx+事業創出の戦略的方向性) の策定
- ✓ Rx+ビジネスの米国拠点を設立

各プログラムは事業化に向けて順調に進捗

慢性疾患の
重症化予防



運動支援サービス・アプリ

- 科学的根拠に基づいたフィットネスサービス「Fit-eNce」パイロット販売開始
- バンダイナムコエンターテインメント社と運動支援アプリの共同開発、試験販売等に関する契約締結
- Health Mock Lab. (アイデア創出から実用化を行うバーチャルな枠組み) 発足

デジタルセラピューティクス

- Welldoc社とデジタルセラピューティクスの開発および商業化について、戦略的提携に関する契約締結

心疾患患者サポートエコシステム

- エムハート社との共同研究でホルタ解析装置用プログラム「マイホルターII」を開発、医療機器プログラム (クラスII) として薬事認証を取得

手術・診断
精度向上による
患者アウトカム
最大化



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(米国)において、最初の cohorts の投与完了
- ASP5354: FDAからファストトラック指定を取得

放射性同位体標識抗体を用いたセラノスティクス*

- Actinium Pharmaceuticals社と分子標的型放射線治療に関する共同研究を開始

スフィア横断



極小の体内埋め込み型医療機器

- Iota Biosciences社を買収し、完全子会社化



* 治療学 (Therapeutics) と診断学 (Diagnostics) を組み合わせた言葉。個々の患者さんの病変の位置や状態を診断し、それぞれに適した治療かどうかを判定しながら行う治療法や考え方

FDA: 米国食品医薬品局

経営計画 2018レビュー(計数面)(1/2)

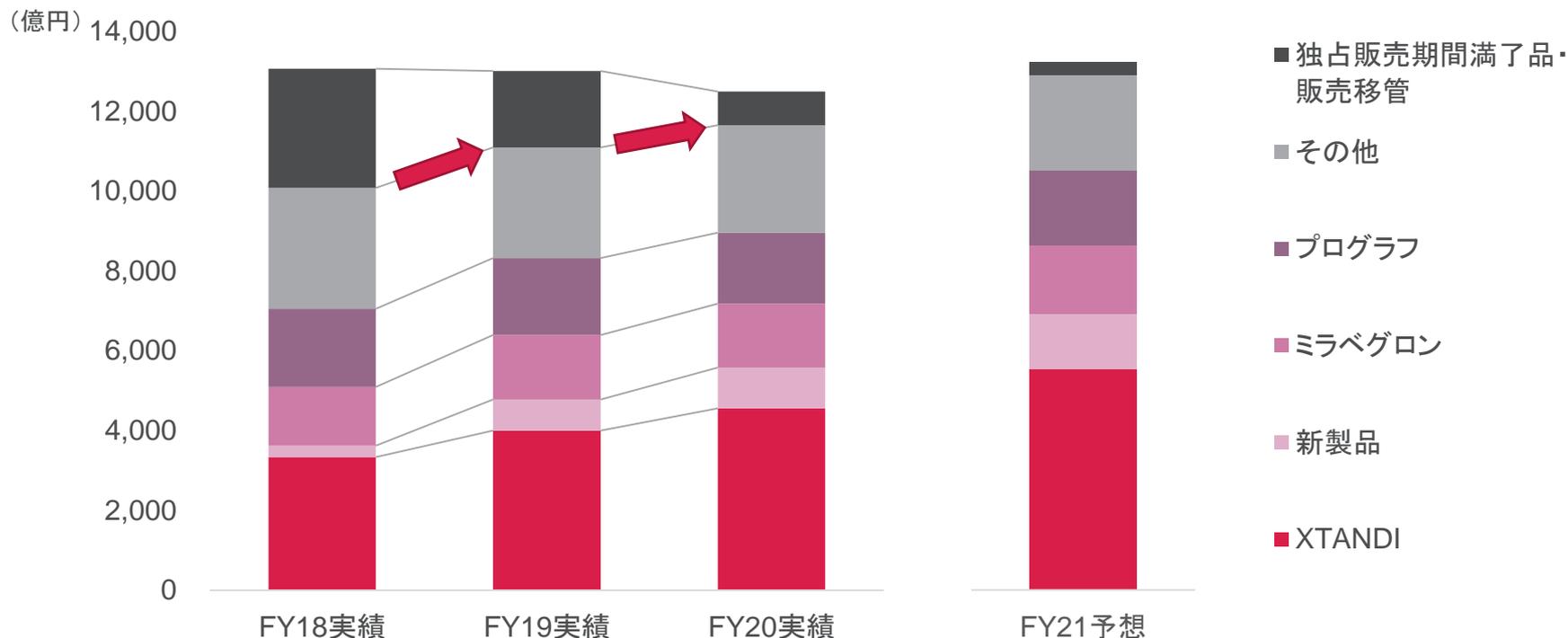
売上収益は計画策定時の想定を下回るが、
将来成長に向けた先行投資を行った上でも、コア営業利益率は目標を達成

財務指標	2017年度 実績	2020年度 実績	2020年度目標 (2018年5月公表)
売上収益	13,003億円	12,495億円	✕ 2017年度水準
研究開発費	2,208億円	2,245億円	○ 2,000億円以上
コア営業利益	2,687億円 20.7%	2,514億円 20.1%	○ コア営業利益率 20%以上
コアEPS	100.64円	113.03円	○ 2017年度を 上回る

経営計画 2018レビュー(計数面)(2/2)

3年間で製品ポートフォリオは大きく変化し、主要製品・新製品の売上が大きく伸長
独占販売期間満了や販売移管によるマイナスの影響は概ね終了
次期経営計画では中長期的な成長トレンドへの回帰を目指す

売上収益の推移



參考資料



2020年度実績：地域別売上収益

(億円)	2019年度	2020年度	増減率
日本	3,454	2,791	-19.2%
米国	4,435	4,732	+6.7%
エスタブリッシュドマーケット	2,961	2,932	-1.0%
グレーターチャイナ	604	593	-1.8%
インターナショナルマーケット	1,348	1,111	-17.6%

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マーケット：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年度実績：主要製品の売上

(億円)	2019年度	2020年度	増減率	為替の影響を 除いた増減率	2020年度 通期予想*
XTANDI	4,000	4,584	+14.6%	+15.3%	4,646
ゾスパタ	143	238	+67.2%	+68.3%	231
PADCEV	18	128	+607.3%	-	130
エベレンゾ	2	11	-	-	
ミラベグロン	1,616	1,636	+1.2%	+2.3%	1,679
日本の新製品	612	705	+15.3%	-	
プログラフ	1,929	1,827	-5.3%	-5.9%	1,820



PADCEVはSeagen社からのコ・プロモーション収入
 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

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2019年度	2020年度	変動
ドル	109円	106円	3円高
ユーロ	121円	124円	3円安

期首 - 期末レートの変動

通貨	2019年度	2020年度
ドル	2円高	2円安
ユーロ	5円高	10円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 46億円の減少、コア営業利益: 73億円の減少
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 +0.8 ppt

2021年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

期中平均レート

通貨	2020年度	2021年度	変動
ドル	106円	110円	4円安
ユーロ	124円	130円	6円安

期首 - 期末レートの変動

通貨	2020年度	2021年度
ドル	2円安	1円高
ユーロ	10円安	0円安

業績予想前提と比較して1円高となった場合に通期業績に対する影響の概算額

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63億円減少	約13億円減少	約6億円増加
ユーロ	約29億円減少	約14億円減少	約3億円増加

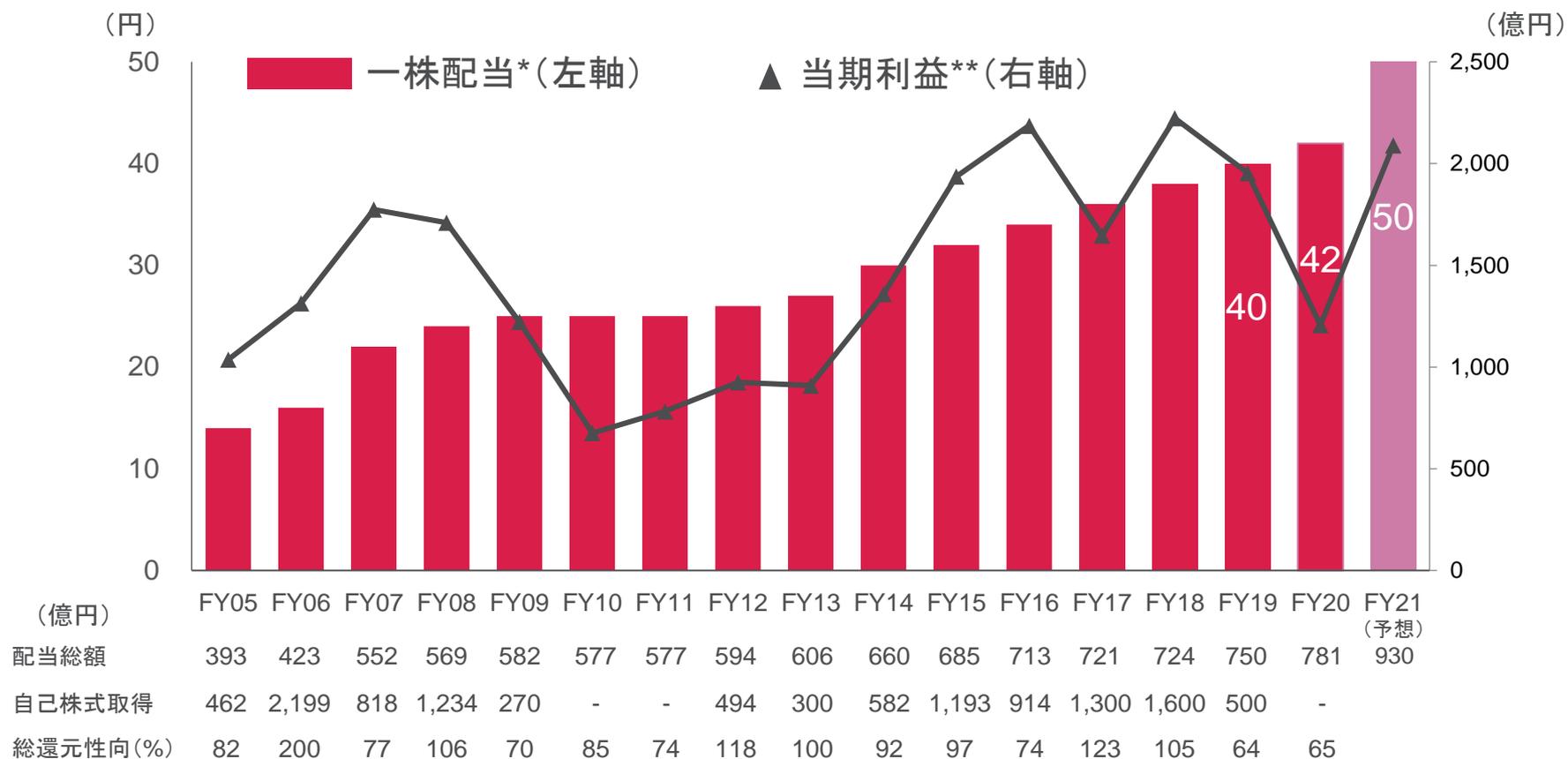
バランスシートおよびキャッシュ・フローのハイライト

(億円)	2019年度末	2020年度末
総資産	23,152	22,736
現金及び現金同等物	3,184	3,261
親会社所有者帰属持分	12,892	13,861
親会社所有者帰属持分比率(%)	55.7%	61.0%

(億円)	2019年度	2020年度
営業CF	2,220	3,068
投資CF	-3,898	-819
フリーCF	-1,678	2,249
財務CF	1,811	-2,295
社債及び短期借入金の増減額	3,260	-2,060
長期借入れによる収入	-	800
配当金支払額	-735	-762

社債及び借入金残高:2,000億円(前期末から返済により1,260億円減少)

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)

成長の基盤となる開発パイプライン

36

第I相

ASP1948/PTZ-329

ASP1951/PTZ-522

ASP9801

ASP7517

ASP0739

ASP7317

ASP0892

ASP0367/MA-0211
(デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

ASP2390

ASP0598

AT845

ASP8062
(アルコール使用障害)

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)

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
(原発性ミトコンドリアミオパチー)

bleselumab
(rFSGS)

ロキサデュスタット
(化学療法に伴う貧血)

isavuconazole
(小児:米国)

ASP8062
(オピオイド使用障害)

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
(治療歴のない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
(閉経に伴う血管運動神経症状)

申請

エンザルタミド
(M1 CSPC:欧州)

エンホルツマブ ベドチン
(治療歴のあるmUC:
米国[sBLAs]・欧州・日本)

ロキサデュスタット
(慢性腎臓病に伴う貧血:欧州)

タクロリムス
(肺移植における拒絶反応の抑制: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3四半期決算発表(2021年1月)以降の進捗

第 I 相入り

第 II 相入り

第 III 相入り

申請

承認

ASP8062

オピオイド使用障害

エンホルツマブ ベドチン

PD-1/L1阻害剤による治療歴があり
シスプラチン不適応の局所進行性
または転移性尿路上皮がん:
米国

エンホルツマブ ベドチン

PD-1/L1阻害剤および白金製剤に
よる治療歴のある局所進行性
または転移性尿路上皮がん:
欧州

エンホルツマブ ベドチン

治療歴のある局所進行性または
転移性尿路上皮がん:
日本

ギルテリチニブ

再発または難治性の
FLT3遺伝子変異陽性
急性骨髄性白血病:
中国

ミラベグロン

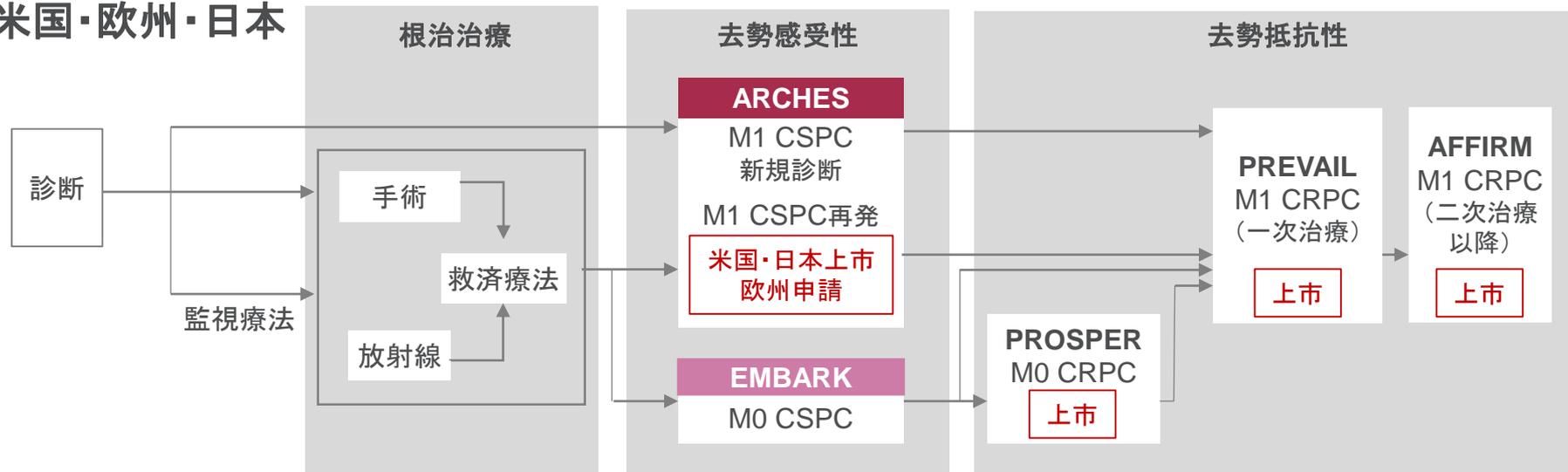
3歳以上の小児における
神経因性排尿筋過活動:
米国

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、 <u>2021年3月にCHMPが販売承認勧告を採択</u>
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: 2020年11月に承認取得
- M1 CSPC: 第Ⅲ相China-ARCHES試験の症例組み入れ終了



下線: 前回の決算発表時(2020年度第3四半期決算; 2021年1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、CHMP: 欧州医薬品委員会

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

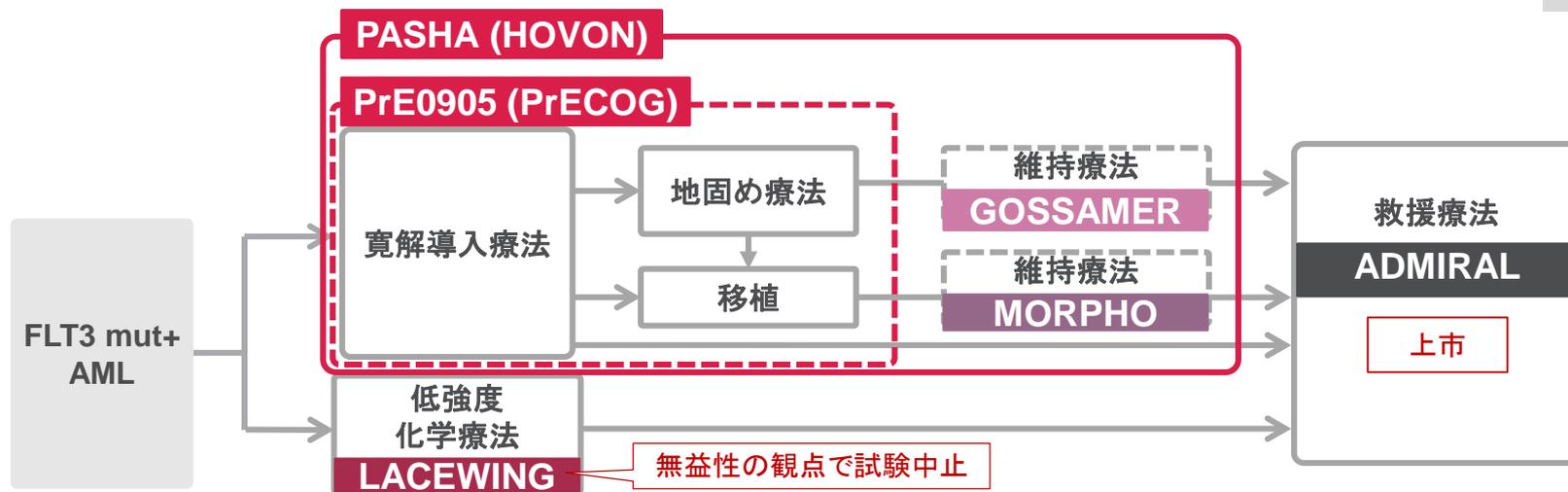
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

病期	<div style="display: flex; justify-content: space-between; align-items: center;"> 早期 後期 </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 [*] 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



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
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=146	中間解析の結果、無益性の観点で新規症例の 組み入れを中止
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

中国 ・ 再発または難治性: ADMIRAL試験結果を基に2021年1月に条件付き承認取得(完全承認はCOMMODORE試験結果による)、2021年4月に上市。第Ⅲ相COMMODORE試験(中国および他の国々で実施)では、あらかじめ計画されていた中間解析の結果に基づき、有効性の観点で早期に症例組み入れを終了



下線: 前回の決算発表時(2020年度第3四半期決算; 2021年1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(1/9)

41

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	主要評価項目(OS)達成(ASCO GU 2021およびNEJMでデータ発表)。2021年2月に米国(sBLA)、2021年3月に欧州・日本で申請
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
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	FSFT(EV + Pembro併用群): 2020年12月
第Ⅲ相: EV-304 /KEYNOTE-B15	シスプラチン適応のMIBC; EV+Pembro(周術期投与)+ RC vs. 化学療法(術前投与)+ RC	n=784	2021年4-6月に開始予定
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(迅速承認プログラムに基づく)・上市 コホート2: 良好なORR結果入手(ASCO GU 2021でデータ発表)。2021年2月に米国申請(sBLA)
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、J および L(シスプラチン不適応MIBC; RC適応): H: EV単剤(術前投与) J(オプション): EV+Pembro(術前投与) L: EV単剤(周術期投与)	n=457	コホートKおよびLで症例組み入れ中
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承認)

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; EV単剤	n=240	FSFT: 2020年3月
----------------	---	-------	---------------



下線: 前回の決算発表時(2020年度第3四半期決算; 2021年1月)からの進捗

ADC: 抗体-薬物複合体、mUC: 転移性尿路上皮がん、OS: 全生存期間、ASCO GU: American Society of Clinical Oncology-Genitourinary Cancers Symposium、NEJM: New England Journal of Medicine、sBLA: Supplemental Biologics License Application、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、ORR: 客観的奏効率、IND: 治験許可申請

エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/9) : 第 I b/II 相EV-103試験デザイン

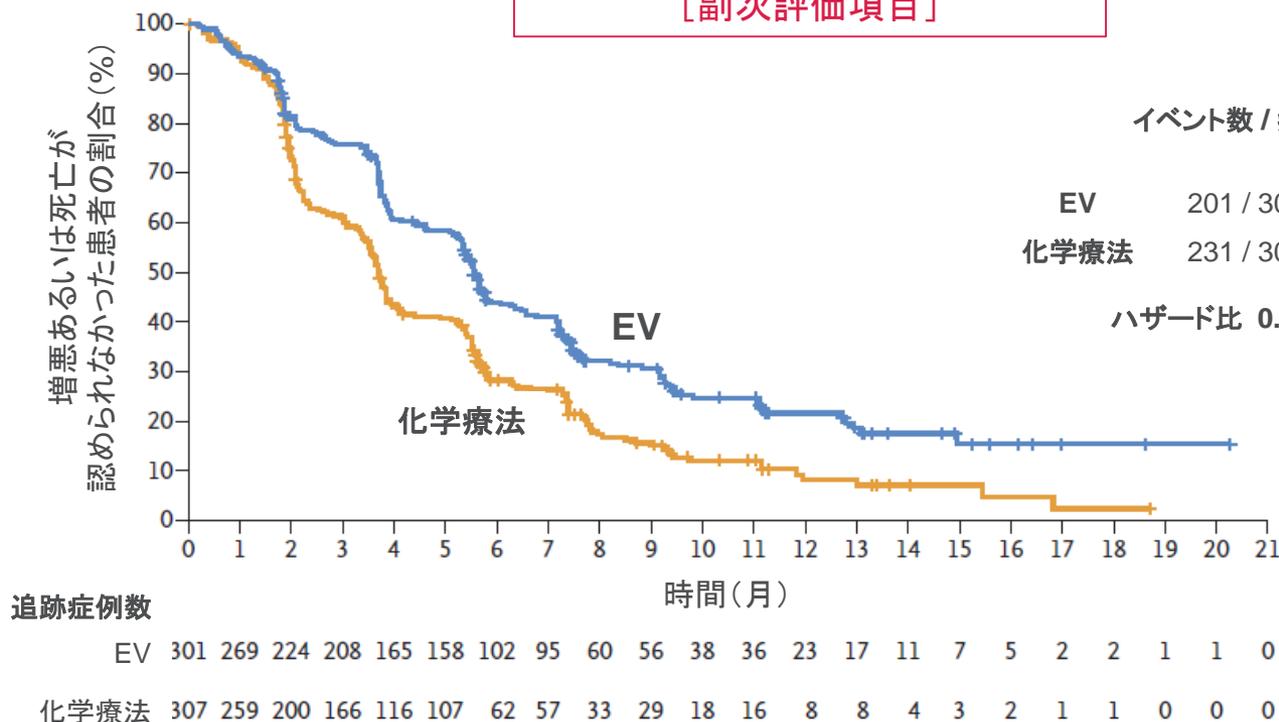
	用量漸増コホート	用量拡大コホート			
局所進行性 または 転移性 尿路上皮 がん	EV + Pembro シスプラチン不適応 1L or 2L	EV 推奨用量	コホートA EV + Pembro シスプラチン不適応 1L コホートK EV単剤 vs. EV+Pembro (1:1, n=150 in total) シスプラチン不適応, 1L	コホートD EV + Cis, 1L コホートE EV + Carbo, 1L コホートB (オプション) EV + Pembro, 2L	コホートG EV + Cis/Carbo + Pembro 1L コホートF (オプション) EV + ゲムシタビン 1L or 2L
筋層浸潤性 膀胱がん		コホートH EV単剤(術前投与) + RC シスプラチン不適応	コホートJ (オプション) EV+Pembro(術前投与) + RC シスプラチン不適応	コホートL EV単剤(周術期投与) + RC 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(EV) (3/9) : 第Ⅲ相EV-301試験 - 有効性

無増悪生存期間(PFS) [副次評価項目]



	イベント数 / 症例数	PFS中央値 (95% CI)
EV	201 / 301	5.55ヵ月 (5.32-5.82)
化学療法	231 / 307	3.71ヵ月 (3.52-3.94)

ハザード比 **0.62** (95% CI: 0.51-0.75)
P<0.001

エンホルツマブ ベドチン(EV) (4/9) : 第Ⅲ相EV-301試験 - 安全性

安全性プロファイルは、これまでのEVの試験で認められたものと同様

治療に関連した有害事象 (TRAE)	症例数 (%)			
	EV (n=296)		化学療法 (n=291)	
	グレード問わず グレード3以上で5%以上の発現率	グレード3以上	グレード問わず	グレード3以上
全てのTRAE	278 (93.9)	152 (51.4)	267 (91.8)	145 (49.8)
脱毛症	134 (45.3)	0	106 (36.4)	0
末梢性感覚ニューロパチー	100 (33.8)	9 (3.0)	62 (21.3)	6 (2.1)
そう痒症	95 (32.1)	4 (1.4)	13 (4.5)	0
疲労	92 (31.1)	19 (6.4)	66 (22.7)	13 (4.5)
食欲減退	91 (30.7)	9 (3.0)	68 (23.4)	5 (1.7)
下痢	72 (24.3)	10 (3.4)	48 (16.5)	5 (1.7)
味覚不全	72 (24.3)	0	21 (7.2)	0
悪心	67 (22.6)	3 (1.0)	63 (21.6)	4 (1.4)
斑状丘疹状皮疹	48 (16.2)	22 (7.4)	5 (1.7)	0
貧血	34 (11.5)	8 (2.7)	59 (20.3)	22 (7.6)
好中球数減少	30 (10.1)	18 (6.1)	49 (16.8)	39 (13.4)
好中球減少症	20 (6.8)	14 (4.7)	24 (8.2)	18 (6.2)
白血球数減少	16 (5.4)	4 (1.4)	31 (10.7)	20 (6.9)
発熱性好中球減少症	2 (0.7)	2 (0.7)	16 (5.5)	16 (5.5)

- グレード3以上のTRAEが、両群いずれも患者の約50%に発現
- 特に注目すべき有害事象（皮膚反応、末梢性ニューロパチー、高血糖など）の程度は全般的に軽度または中等度であり、これまでの試験で報告されているものと同様

エンホルツマブ ベドチン(5/9): 第Ⅱ相EV-201試験コホート2 - 有効性(1)

客観的奏効率(ORR) [主要評価項目]

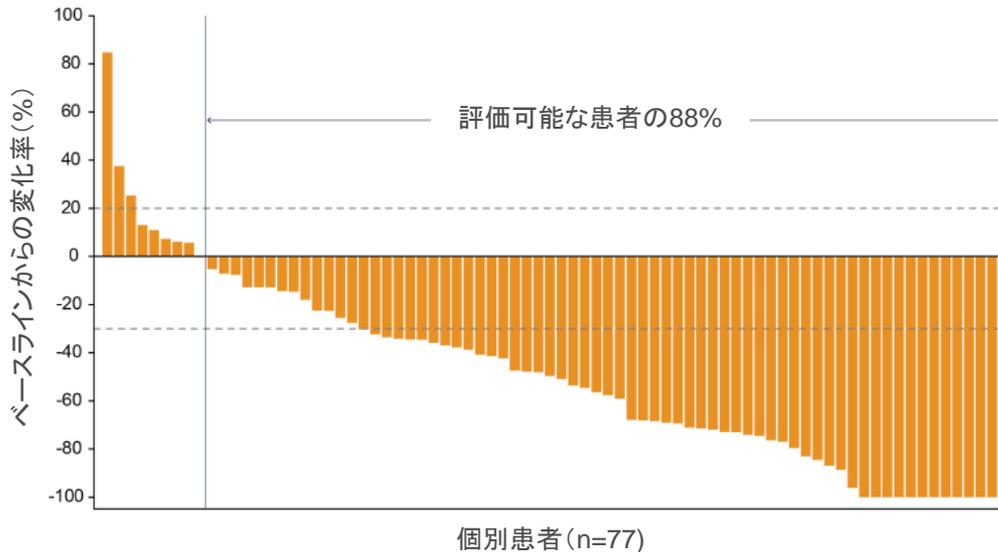
RECIST 1.1版に基づく客観的奏効率 (盲検下独立中央評価による判定)	症例数(%) [n=89]
確定客観的奏効率 (Confirmed ORR) 95% CI	52 (40.8, 62.4)
RECIST 1.1版に基づく最良総合効果 [Best Overall Response]	
完全奏効 (Complete Response)	20
部分奏効 (Partial Response)	31
安定 (Stable Disease)	30
進行 (Progressive Disease)	9
評価不能 *	9

* ベースライン後にレスポンス評価のない5例、ベースライン後の評価が「安定 (Stable Disease)」と判断するための最短間隔の要件を満たさなかった2例、ならびに不十分な評価であった1例を含む

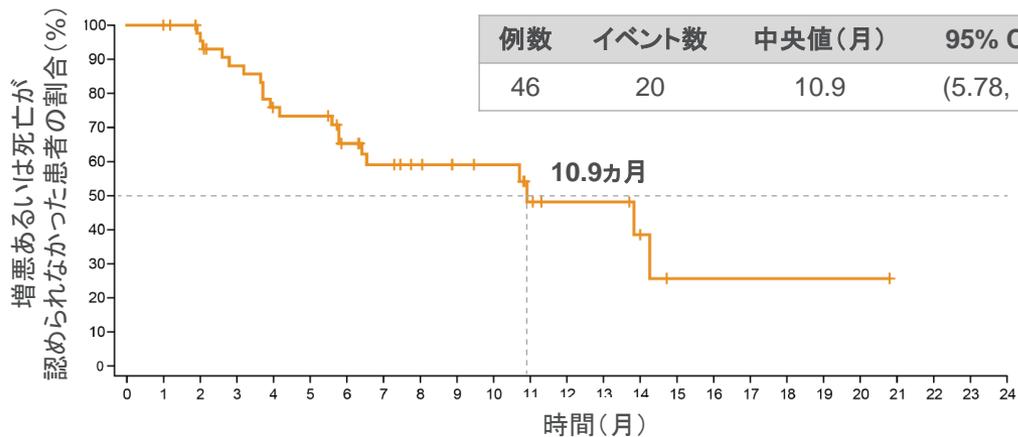
エンホルツマブ ベドチン(6/9): 第Ⅱ相EV-201試験コホート2 - 有効性(2)

標的病変の変化率 (盲検下独立中央評価による判定)

計12例でデータが取得できず
(5例: ベースライン後の評価なし、
1例: ベースライン後の評価が不十分、
6例: ベースラインにおいて盲検下独立
中央評価により測定できる病変なし)



奏効期間 (盲検下独立中央評価による判定)



エンホルツマブ ベドチン(EV) (7/9): 第II相EV-201試験コホート2 - 安全性

安全性プロファイルは、これまでのEVの試験で認められたものと同様

治療に関連した有害事象 (TRAE) グレード問わず20%以上の発現率 グレード3以上で5%以上の発現率	症例数 (%) (n=89)	
	グレード問わず	グレード3以上
全てのTRAE	86 (97)	49 (55)
脱毛症	45 (51)	-
末梢性感覚ニューロパチー	42 (47)	3 (3)
疲労	30 (34)	6 (7)
食欲減退	29 (33)	5 (6)
そう痒症	27 (30)	3 (3)
斑状丘疹状皮疹	27 (30)	7 (8)
味覚不全	24 (27)	-
体重減少	23 (26)	1 (1)
貧血	22 (25)	5 (6)
下痢	20 (22)	5 (6)
悪心	20 (22)	1 (1)
好中球減少症	11 (12)	8 (9)
高血糖	8 (9)	5 (6)
リパーゼ増加	7 (8)	5 (6)

- グレード3以上の注目すべきTRAEには皮膚反応(17%)、末梢性ニューロパチー(8%)および高血糖(6%)を含む
- 75歳以上で複数の合併症を有する患者4例の死亡が、治療と関連のある有害事象として治験担当医師より報告あり

エンホルツマブ ベドチン(EV) (8/9): 病期別臨床試験データ

病期	早期		転移性尿路上皮がん						後期
	筋層浸潤性膀胱がん		治療歴なし(一次治療)			PD-1/L1阻害剤の治療歴あり			
	手術適応		白金製剤 適応	シスプラチン不適応		白金製剤未治療 かつ シスプラチン不適応	白金製剤の治療歴あり		
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2	Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3	
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK	EV-103 コホートA & 用量漸増コホート	EV-201 コホート2	EV-201 コホート1	EV-301	
症例数	734 (2群)	836 (3群)	760 (2群)	150 (2群)	45	89	125	608 (2群)	
EV投与 レジメン	Pembro併用 (周術期投与)	Pembro併用 (周術期投与)	Pembro併用	単剤 vs. Pembro併用	Pembro併用	単剤	単剤	単剤	
対照	化学療法 (術前投与)	標準療法	化学療法	n/a	n/a	n/a	n/a	化学療法	
主要 評価項目	pCR & EFS	pCR & EFS	PFS & OS	ORR	✓ ORR ** 73% (CR 16%)	✓ ORR 52% (CR 20%)	✓ ORR 44% (CR 12%)	✓ OS * HR 0.70	
全生存期間 (OS)	(近日中に 開始予定)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(未達)	✓ (14.7ヵ月)	✓ (12.4ヵ月)**	✓ HR 0.70 * (12.9ヵ月 vs. 9ヵ月)	
無増悪生存 期間(PFS)	(近日中に 開始予定)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(未達)	✓ (5.8ヵ月)	✓ (5.8ヵ月)	✓ HR 0.62 * (5.6ヵ月 vs. 3.7ヵ月)	
客観的奏効率 (ORR)	(近日中に 開始予定)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 73% ** (CR 16%)	✓ 52% (CR 20%)	✓ 44% (CR 12%)	✓ 41% vs. 18% * (CR 4.9% vs. 2.7%)	
奏効期間 (DoR)	(近日中に 開始予定)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(未達)	✓ 10.9ヵ月	✓ 7.6ヵ月	✓ 7.39ヵ月 vs. 8.11ヵ月 *	



✓: 結果入手済、*: 事前に設定した中間解析、**: 最新結果、黄: 最近開示された結果



エンホルツマブ ベドチン(9/9) : 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	<u>83,000</u>	20,000	<u>20,700</u>	<u>15,600</u>	<u>8,500</u>
欧州 *	<u>120,000</u>	32,000	<u>29,600</u>	<u>28,000</u>	<u>13,600</u>
日本	<u>46,000</u>	<u>11,500</u>	<u>10,500</u>	<u>7,500</u>	<u>3,800</u>
中国(都市部)	<u>54,000</u>	<u>14,000</u>	<u>30,000</u>	<u>25,000</u>	<u>12,300</u>

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、重大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、顕著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	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 12週: 二重盲検、30 mg vs. 45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=527	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトップライン結果)
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	40週: 実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=501	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトップライン結果)
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	閉経に伴うVMSを有する患者 52週: 二重盲検、30 mg vs. 45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=1,833	症例組み入れ終了

アジア(日本を除く)

第Ⅲ相: MOONLIGHT 1	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 12週: 二重盲検、30 mg vs. プラセボ(1:1) 12週: 実薬継続投与、30 mg	n=300	FSFT: 2020年4月
第Ⅲ相: MOONLIGHT 3	閉経に伴うVMSを有する患者、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3四半期決算; 2021年1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: 最終症例における最終観察、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

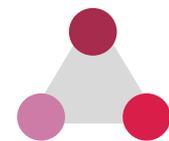
ASPIRO

(XLMTM患者対象の
申請用臨床試験)

n=26

2020年12月にFDAより臨床試験の差し止め (clinical hold) 解除の通知を受領。試験再開に向け活動中
グローバル申請に向け、方針を当局と協議予定

Focus Areaアプローチの進展： 細胞医療および遺伝子治療の製造拠点



細胞医療 Astellas Institute for Regenerative Medicine (AIRM)



2020年4月稼働 新施設
米国マサチューセッツ州
ウェストポロ

- 細胞医療の推進に最適化された施設。研究、CMC・製造、臨床開発が同居する複合施設
- 床面積は約24,000 m²。CMC研究・GMP製造が約半分
- 7つのGMPクリーンルームは、米国・欧州・日本の規制に準拠。将来の拡張用スペースも確保
- 独立した空調管理で、異なる細胞種を並行して製造

細胞原薬の製造

- PSC由来細胞医療のパイオニアとして培った10年近いGMP製造の経験
- 規制当局との対話を通じて蓄積してきた規制対応ノウハウ
- 細胞種毎に最適化されたプロトコルでのGMP製造を推進

細胞製剤の製造

- 米国・英国への治験薬供給経験
- 将来のサプライチェーン起点(製品出荷)としての機能を拡充予定

遺伝子治療 Astellas Gene Therapies (Audentes社)



米国カリフォルニア州
サウスサンフランシスコ

- 自社AAV製造のケイパビリティにより、研究から商業化まで自社で供給可能
- 将来のAAV製造ならびにサプライチェーンのニーズに対応可能なケイパビリティ

AAV原薬の製造

- 1,000 L (2x500 L) スケールの浮遊バイオリアクターを装備
- AT132の商業生産用に加えて、GMPグレードの臨床用AAV原薬を製造可能

AAV製剤の製造

- 全てのAAV製剤を自社で供給可能(外注不要)
- 将来的には全ての遺伝子治療プログラムをサポート

さらに、ノースカロライナ州 サンフォードに新プラントを建設中(2022年半ばにGMP稼働開始予定)。
一次フェーズでは4,000 L のバイオリアクターを装備

変化する医療の最先端へ

