

経営計画2021

対象期間 2021年度～2025年度

進化した戦略、意欲的な目標、変革を引き起こす実行力
VISION実現への揺るぎない決意



2021年5月26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。

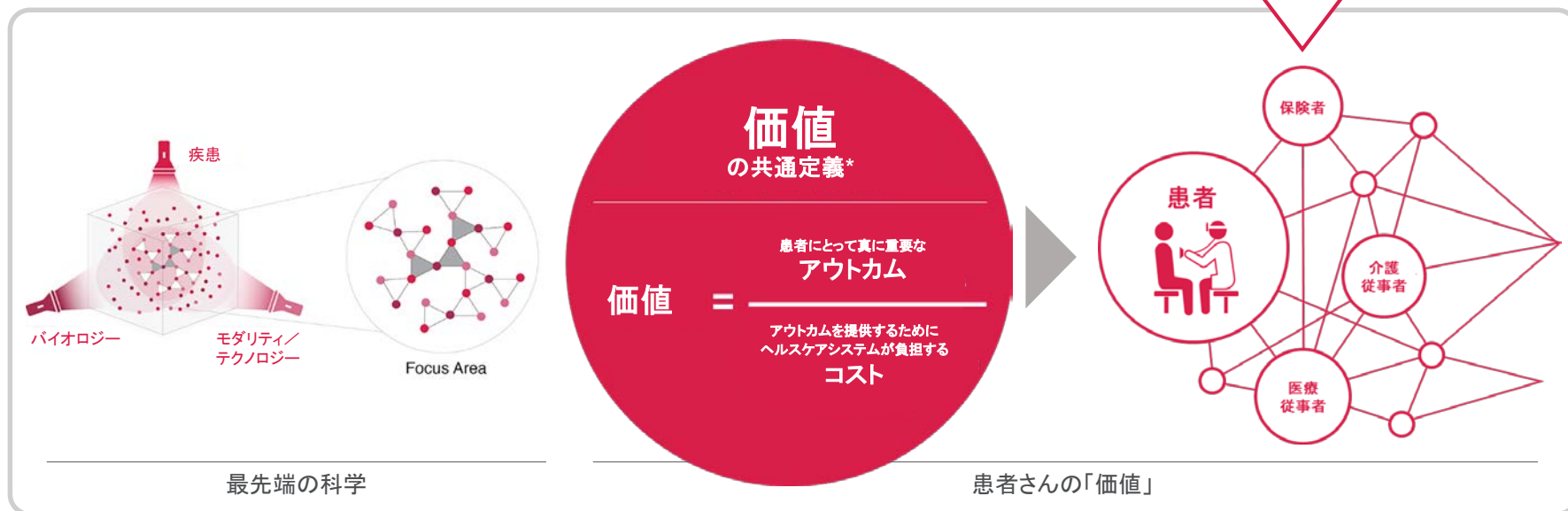
VISION実現への揺るぎない決意

2018年度 - 2020年度
経営計画2018

2021年度 - 2025年度
経営計画2021

VISION

変化する医療の最先端に立ち
科学の進歩を患者さんの「価値」に変える



* "What Is Value in Health Care?" Porter, M.E. (2010). New England Journal of Medicineより抜粋

2018年度 - 2020年度
経営計画2018

2021年度 - 2025年度
経営計画2021

VISION

進化した戦略、意欲的な目標、変革を引き起こす実行力
VISION実現への揺るぎない決意

戦略目標

1. 患者さんのより良いアウトカムの実現
2. 科学の進歩を確かな「価値」へ
3. Rx+ ビジネスの進展
4. サステナビリティ向上の取り組みを強化

価値

の共通定義

$$\text{価値} = \frac{\text{患者にとって真に重要なアウトカム}}{\text{アウトカムを提供するためにヘルスケアシステムが負担するコスト}}$$

組織健全性目標

イノベーションの促進、人材の活躍、コラボレーションの浸透が相まって、意欲的な目標の実現を目指す企業文化を醸成し、アステラスの実行力を格段に上げていく

成果目標: 以下の3つを達成することにより、**2025年度に株式時価総額 7兆円以上**

1. 売上収益: XTANDIおよび重点戦略製品* の売上は2025年度に1.2兆円以上
2. パイプライン価値: Focus Areaプロジェクトからの売上は2030年度に5,000億円以上
3. コア営業利益率: 2025年度に30%以上

株式時価
総額
7兆円



経営計画2021のアジェンダ

売上収益、パイプライン価値

- 1** XTANDIおよび重点戦略製品*: 2025年度に1.2兆円以上
- 2** Primary Focusから後期開発品を創出
- 3** 重要技術基盤の活用・発展
- 4** Focus Area プロジェクト: 2030年度に5,000億円以上

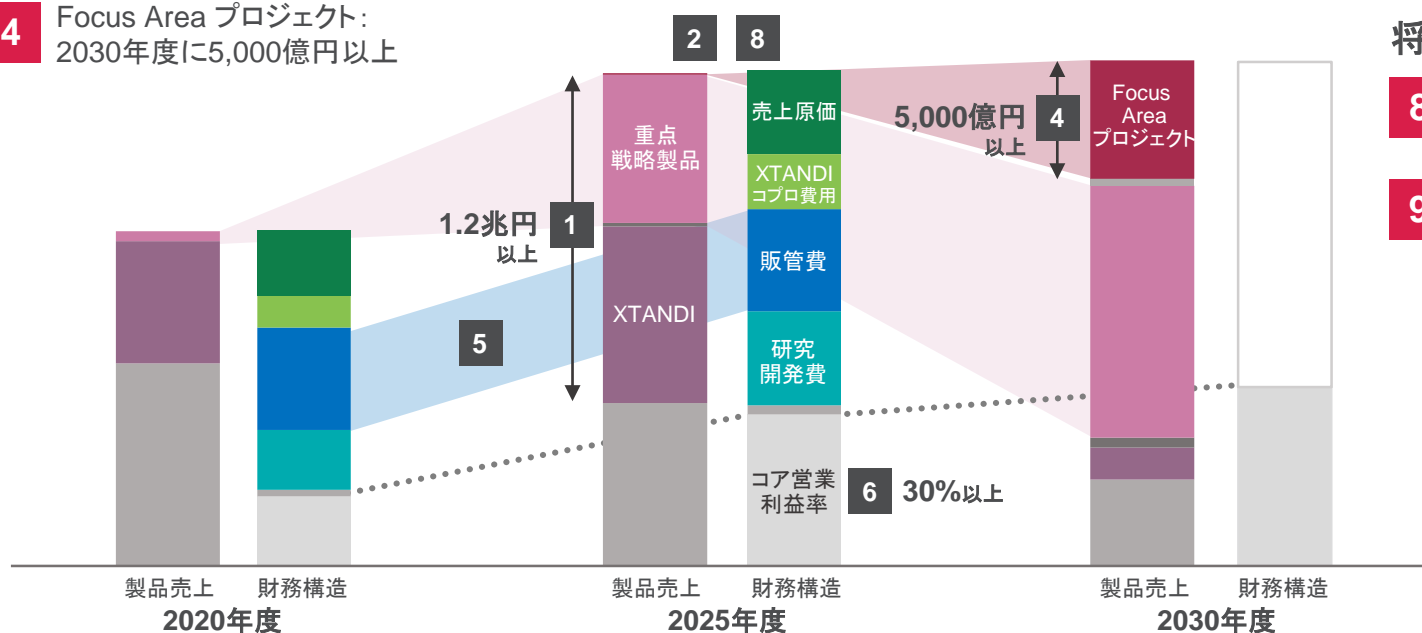
株式時価
総額
7兆円
2025年度

コア営業利益

- 5** 販管費は絶対額で維持
- 6** 十分な研究開発投資
コア営業利益率: 2025年度に30%以上
- 7** 配当は安定的に向上

将来成長

- 8** Rx+: 2025年度までにBreakeven
- 9** サステナビリティ



3 7 9



* ゴスパタ、PADCEV、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

XTANDIおよび重点戦略製品の申請スケジュール

XTANDI、ゾスパタ、PADCEV の適応拡大、ならびに
ゾルベツキシマブ、fezolinetant、AT132の上市に向けた申請を予定

製品	目標申請時期				
	2021年度	2022年度	2023年度	2024年度	2025年度以降
XTANDI (エンザルタミド)		非転移性去勢感受性 前立腺がん			
ゾスパタ (ギルテリチニブ)		急性骨髄性白血病 (造血幹細胞移植後の 維持療法)			急性骨髄性白血病 (未治療、 強力な化学療法適応)
PADCEV (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) [米国;迅速承認申請]	EV-103試験 コホートデータに 基づく	転移性尿路上皮がん (治療歴なし;一次治療)	筋層浸潤性膀胱がん
ゾルベツキシマブ		胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん			
fezolinetant		閉経に伴う 中等度から重度の 血管運動神経症状			
AT132 (resamirigene bilparvovec)		X連鎖性ミオチューブラー ミオパチー	ASPIRO試験の現プロトコルに 大きな変更が生じないことが前提		

注) ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2021年5月時点)。
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

1	2	3
4	5	6
7	8	9

XTANDIおよび重点戦略製品のピーク時売上予想

XTANDIに加えて、2020年代に複数の重点戦略製品の成長を見込む

製品	ピーク時売上予想 (グローバル、億円)	
XTANDI (エンザルタミド)	6,000 - 7,000	早期ステージの前立腺がんにおける第一選択薬のポジションを強固にする
fezolinetant	3,000 - 5,000	HRTの代替治療薬が待ち望まれている中、ファーストインクラスの非ホルモン療法として新たな治療オプションを目指す
PADCEV (エンホルツマブ ベドチン) ¹	3,000 - 4,000	mUC一次治療の適応取得により大きく売上が伸びることを期待する
ゾスパタ (ギルテリチニブ)	1,000 - 2,000	早期ステージの追加適応取得を見込み速やかな市場浸透に取り組む
ゾルベツキシマブ	1,000 - 2,000	HER2-、CLDN 18.2+ の患者層における1Lの第一選択薬のポジションを目指す
エベレンゾ (ロキサデュスタット) ²	500 - 1,000	経口投与可能なファーストインクラスのHIF-PH阻害薬として差別化を図る
AT132 (resamirigene bilparvovec)	500 - 1,000	アンメットメディカルニーズが高いXLMTMにおいて最初に承認される治療薬を目指す

注) ピポタル試験を実施中の適応症に限る(2021年5月時点)

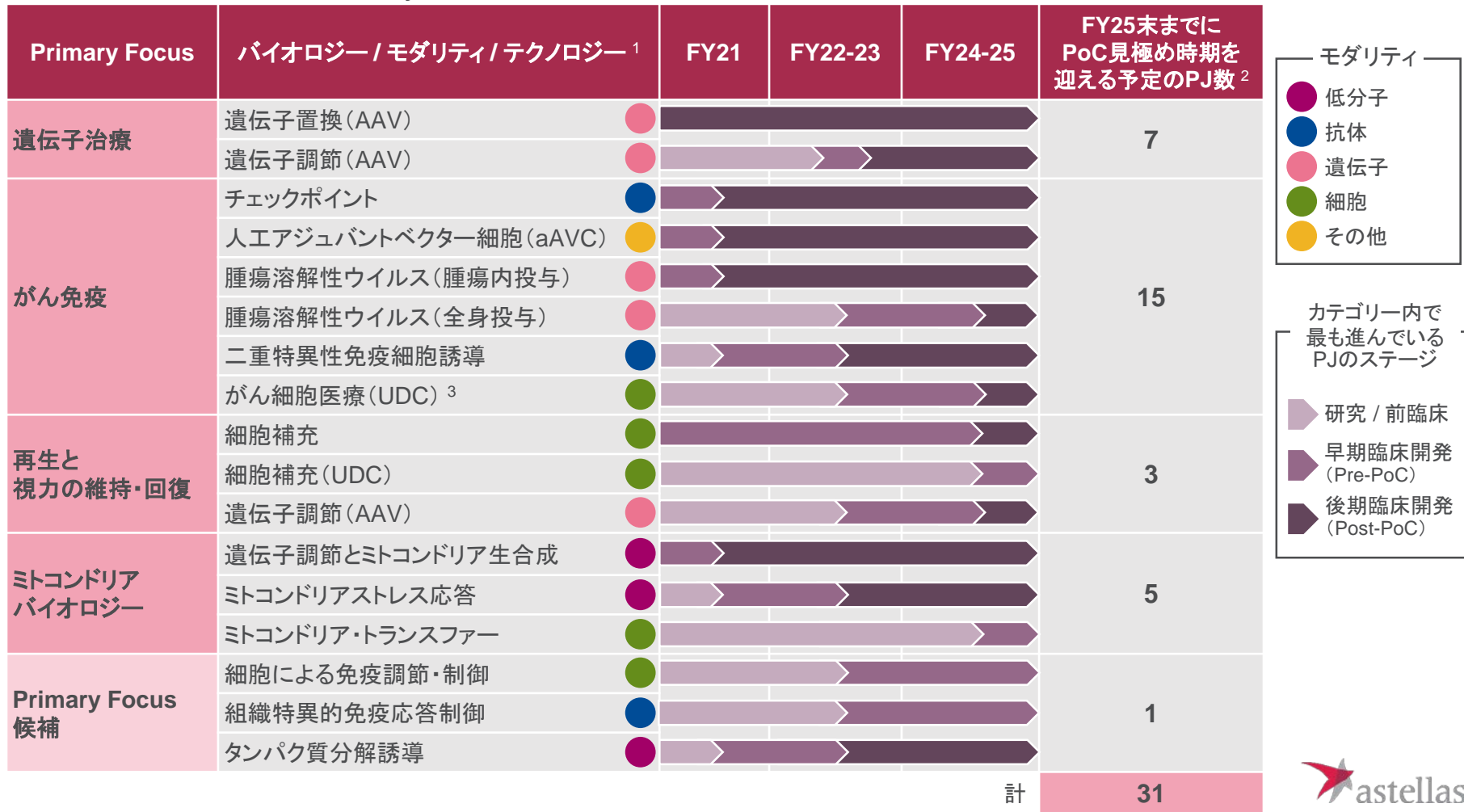
1. 米州については、パートナーのSeagen社が計上する売上を用いて算出
2. アステラスの権利範囲のみ：日本、欧州、独立国家共同体(CIS)、中東、南アフリカ等



1	2	3
4	5	6
7	8	9

主要プラットフォームの臨床コンセプト検証 ならびにパイプラインの拡充

2025年度末までに、Primary Focusのパイプラインから新たな後期開発品ポートフォリオを構築する



1. 全てを列举していない、2. 成功確率100%の前提で、標準の開発タイムラインに基づき算定 (2021年5月時点)、

3. 最初のconvertibleCARプログラム (自家細胞を使用) のINDは2021年度後半の予定

PoC: コンセプト検証 (後期開発への進展の是非を判断するための臨床試験データ)、AAV: アデノ随伴ウイルス、UDC: ユニバーサルドナー細胞

1	2	3
4	5	6
7	8	9

細胞医療プラットフォームの有機的活用

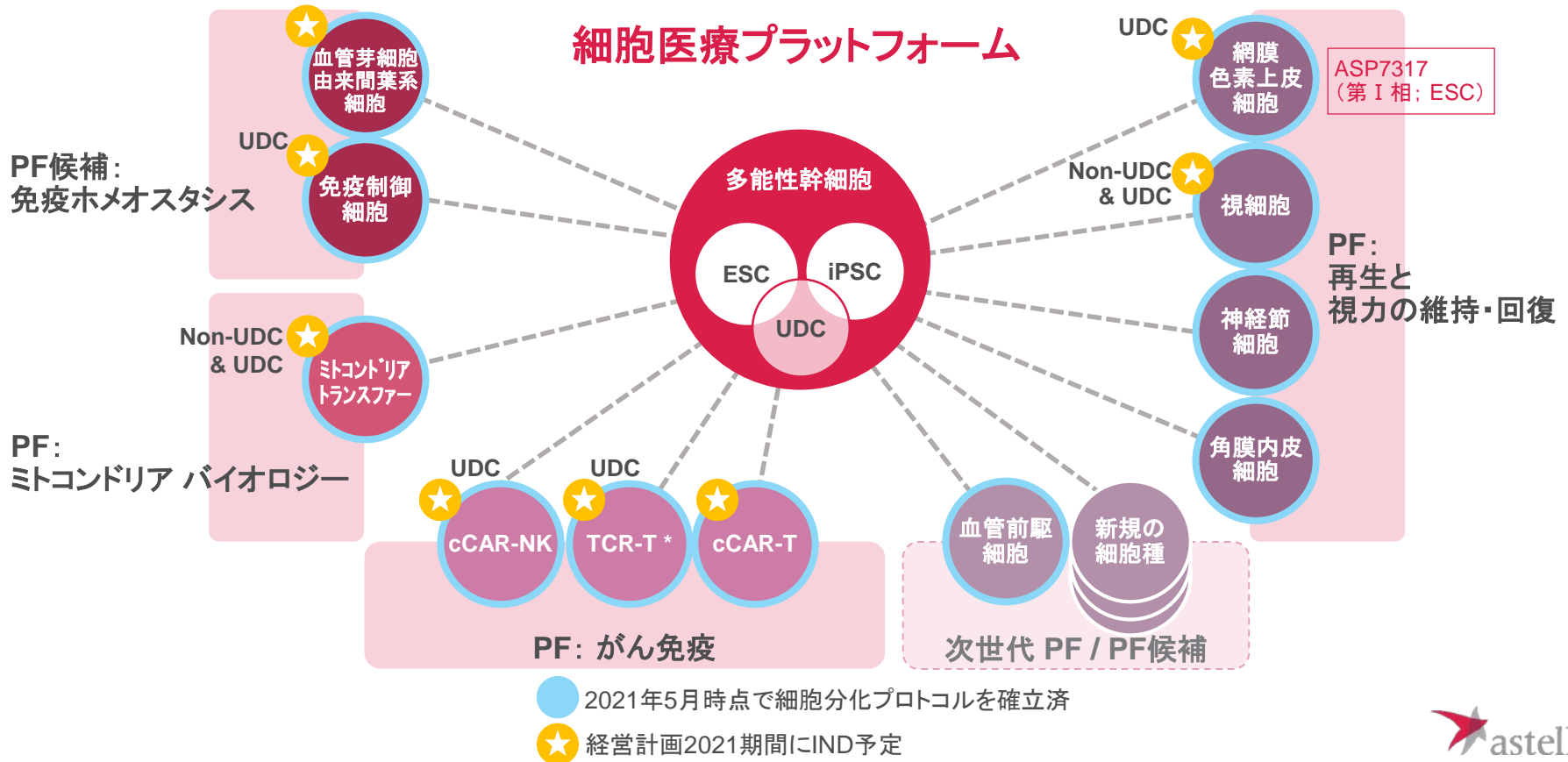
11種類の細胞分化プロトコルを確立済

AIRM新施設において、全ての細胞医療プロジェクトの
治験用原薬および製剤の製造が可能



AIRM

@米国マサチューセッツ州
ウエストボロ
(2020年4月より稼働)



* Adaptimmune社との提携

AIRM: Astellas Institute for Regenerative Medicine、PF: Primary Focus、ESC: 胚性幹細胞、iPSC: 人工多能性幹細胞、UDC: ユニバーサルドナー細胞、CAR: キメラ抗原受容体、cCAR: convertibleCAR、TCR: T細胞受容体、NK: ナチュラルキラー、IND: 治験許可申請

1	2	3
4	5	6
7	8	9

遺伝子治療および細胞医療プラットフォームにおける AAV技術の有機的活用

経営計画2021期間に、AAV技術を活用した複数のプロジェクトでINDを予定(★)
 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



臨床応用

遺伝子編集

遺伝子治療プラットフォーム

遺伝子置換

AT132
(第Ⅱ相)

AT845
(第Ⅰ相)

遺伝子調節

★ AT753

★ AT702

★ AT751

★ AT466

PF: 遺伝子治療

Astellas Gene Therapies



@米国カリフォルニア州
サウスサンフランシスコ
(稼働中)



@米国ノースカロライナ州
サンフォード
(2022年に稼働予定)

遺伝子調節

★ Quethera社**
由来プログラム

★ ピッツバーグ大学と
の提携プログラム

PF: 再生と視力の維持・回復

細胞医療プラットフォーム

多能性幹細胞

ESC

iPSC

UDC

PF 候補:
免疫ホメオスタシス

★ 免疫制御
細胞

★ 網膜
色素上皮
細胞

★ 視細胞

★ cCAR-NK

★ TCR-T*

PF: がん免疫

★ ミトコンドリア
トランスファー

PF: ミトコンドリア
バイオロジー



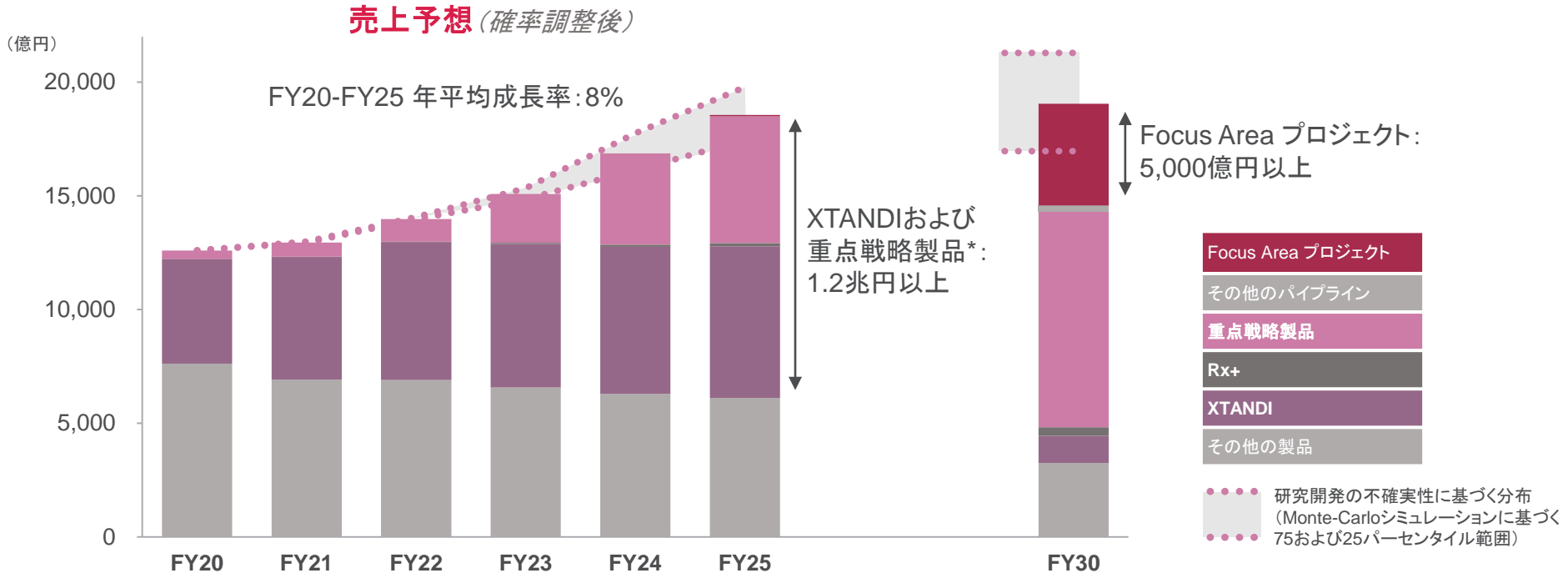
* Adaptimmune社との提携、** 買収(自社プログラムに分類)

AAV: アデノ随伴ウイルス、IND: 治験許可申請、PF: Primary Focus、ESC: 胚性幹細胞、iPSC: 人工多能性幹細胞、UDC: ユニバーサルドナー細胞、CAR: キメラ抗原受容体、cCAR: convertibleCAR、TCR: T細胞受容体、NK: ナチュラルキラー

1	2	3
4	5	6
7	8	9

中長期的な売上収益の見通し

2025年度に向けて、XTANDIおよび重点戦略製品が貢献し、売上は年平均8%の力強い成長
 重点戦略製品がXTANDIの売上減少をオフセットし、2030年度に向けてFocus Areaプロジェクトが
 更なる成長ドライバーになることを期待



経営計画2021 売上予想の前提条件:
 経営計画期間中にミラベグロン(米国)およびレキスキャン(米国)の後発品参入は見込んでいない



1	2	3
4	5	6
7	8	9

販管費構成の変遷

新製品への十分な投資を行いつつ、全社横断的な実行計画により販管費*は絶対額で維持

販管費は絶対額で維持

成長品およびデジタルトランスフォーメーションに投資



- 新製品の発売準備や販売促進活動
- 新規モダリティのための
コマーシャル組織体制の確立
- 現状のビジネスに変革をもたらすための
ITデジタル投資

効率性を追求するための取り組み



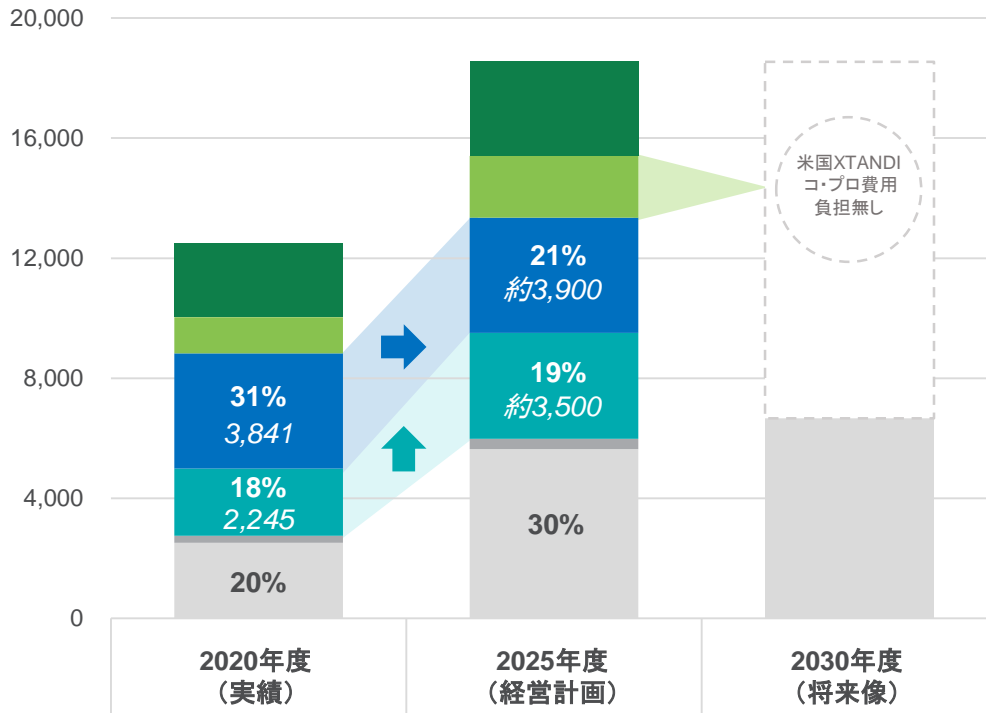
- ポートフォリオのスペシャリティ化
- 営業体制の変革
- コマーシャル組織のグローバル化
- デジタル化による業務の簡素化と自動化
- コーポレート部門・機能のグローバル化
- 新たな働き方への適応
- 調達コスト削減

1	2	3
4	5	6
7	8	9

中長期的な財務構造の見通し

研究開発投資を確保しつつ、売上成長やコスト構造の変革により、2025年度にコア営業利益率30%以上を目指す

(億円)



2025年度 利益目標

販管費: 対売上比率 21%

新製品への十分な投資を行うが、販管費の絶対額は維持。売上成長により販管費率は大きく改善

研究開発費: 対売上比率 19%

将来の成長のため、Focus Areaプロジェクトへの潤沢な投資を確保

コア営業利益率: 対売上比率 30%

売上成長と共に、競争力のあるコア営業利益率を達成し、意欲的に2030年度の姿を目指す

■ コア営業利益 ■ 無形資産償却費 ■ 研究開発費 ■ 販管費 ■ 米国XTANDIコ・プロモーション費用 ■ 売上原価

キャピタルアロケーション

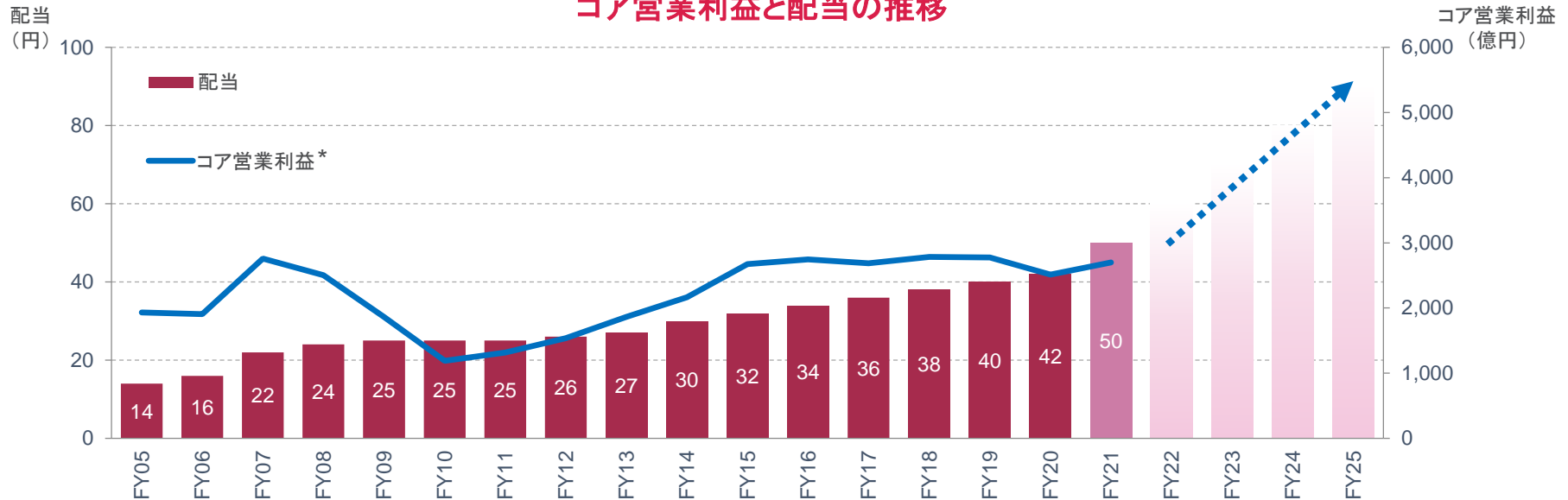
経営計画2021

1	2	3
4	5	6
7	8	9

- 1 成長を実現するための事業投資を最優先
- 2 利益・資金計画及び実績に基づき、経営計画期間を通じた配当水準の引き上げ
- 3 余剰資金が生じた際は、自己株式取得を機動的に実施

経営計画2021の間中は堅調な利益成長予想に基づき、より高い水準の配当を目指す

コア営業利益と配当の推移



イメージ図

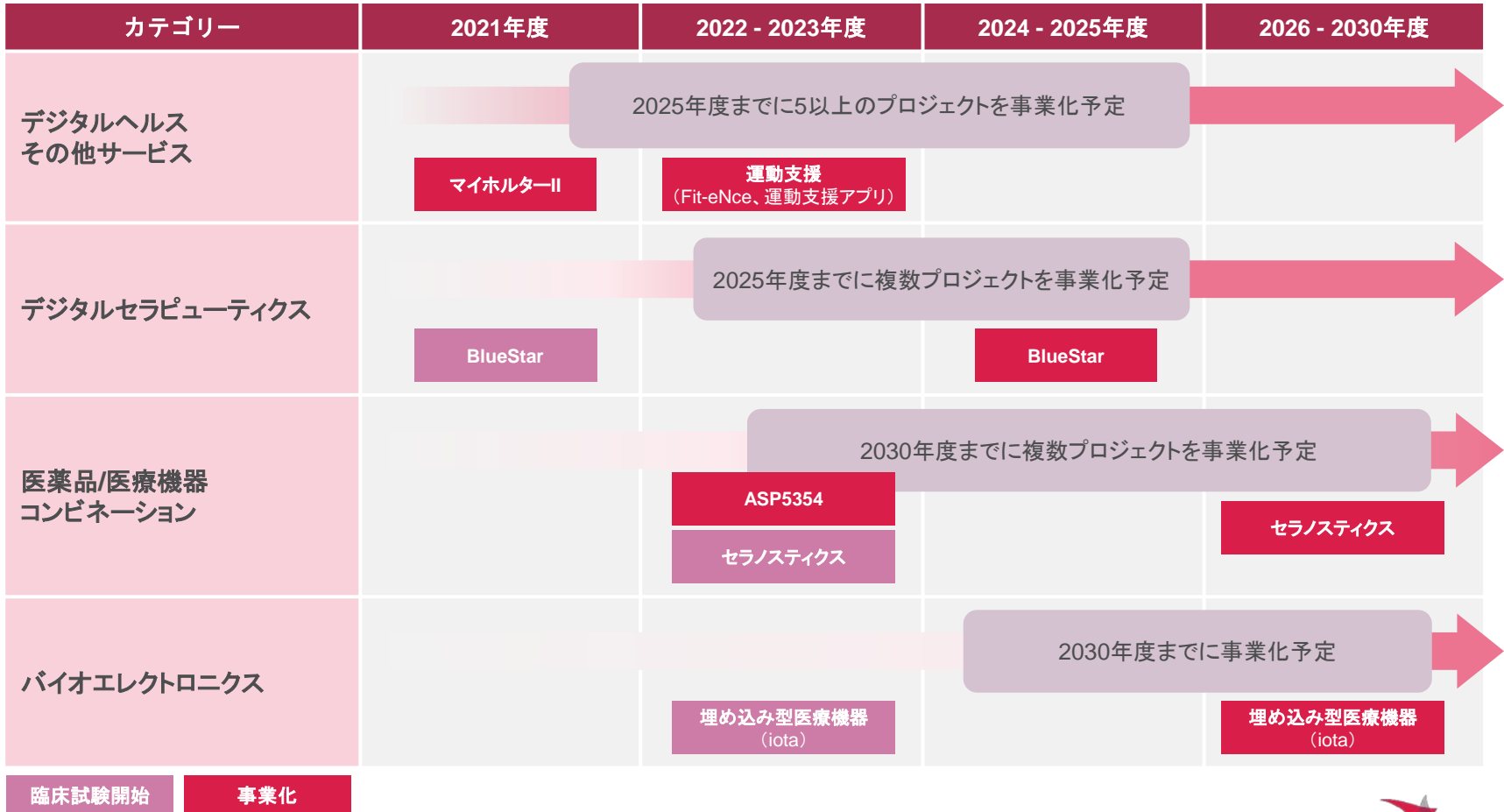


* 2012年度(2013年3月期)以前は、日本基準の営業利益

1	2	3
4	5	6
7	8	9

Rx+プログラムの進展見込み

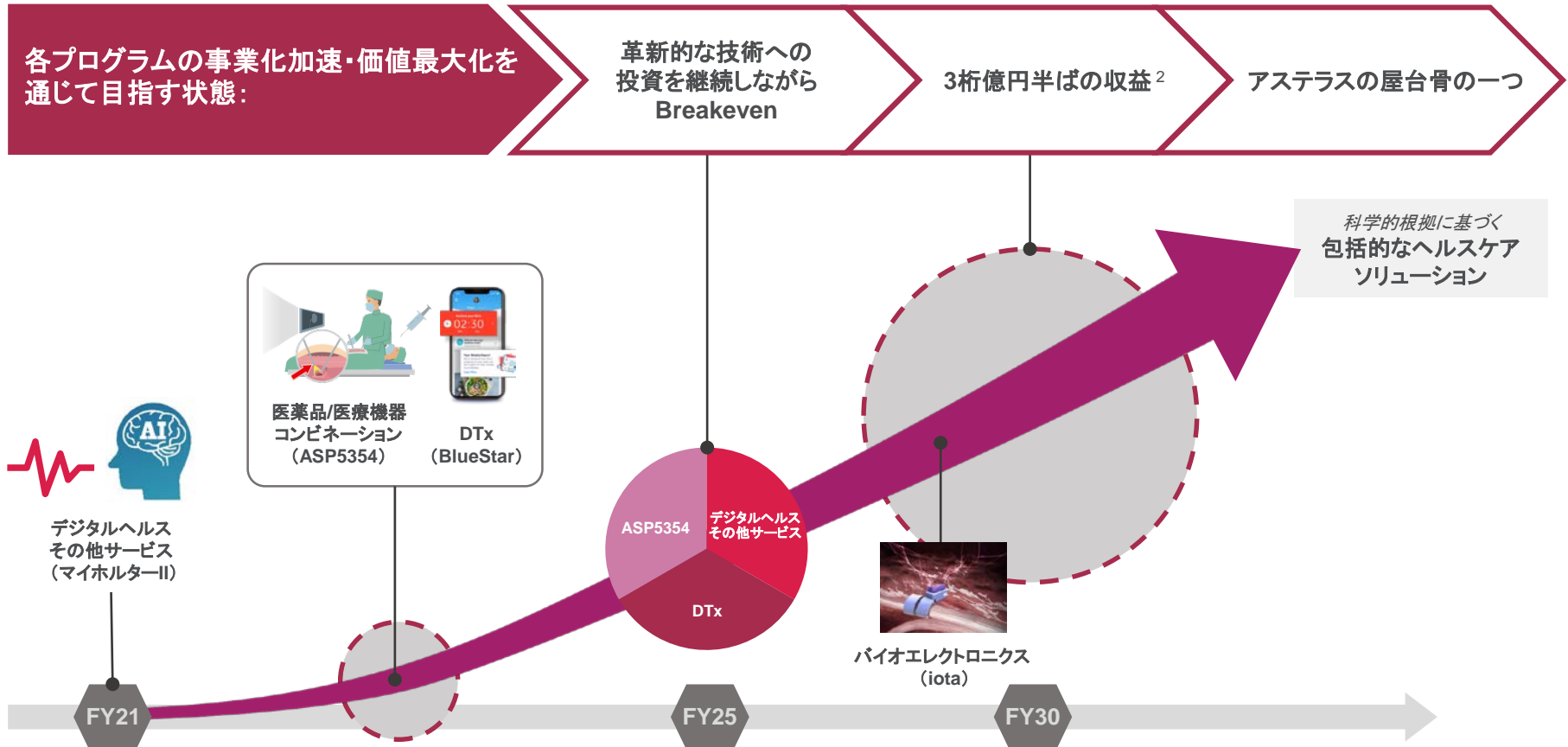
各カテゴリーにおいて複数プロジェクトの事業化を予定



1	2	3
4	5	6
7	8	9

Rx+ビジネスの成長可能性

成長に向けた投資を行いながら、2025年度までにBreakeven¹達成、
2030年度までに3桁億円半ばの収益到達、2030年代にアステラスの屋台骨の一つを目指す



1. Breakeven: Rx+ビジネスから得られる収益がRx+関連活動全体の費用を賄っている状態、2. それぞれの円の大きさはおよその収益規模予想に対応
DTx: デジタルセラピューティクス

1	2	3
4	5	6
7	8	9

社会の持続可能性への貢献

これまでの「CSR経営」から、今後は社会およびアステラスの持続可能性向上に力点を置いた活動を推進

経営計画2021では、「価値創造」の活動を強化する



1	2	3
4	5	6
7	8	9

「価値創造」の強化

利益貢献あるいは事業活動と相乗効果が期待できる活動を強化する
アステラスの持つ強みや技術、専門性を活用する

活動強化

Access to Health

開発ステージから市販後に至るまで広範囲をカバーする戦略に基づき、
患者さんのAccess to Healthを改善

環境(気候変動対策)

TCFDの提言に基づき

- 2021年度にシナリオ分析結果を公表
- 2023年度にシナリオ分析結果を更新予定

まとめ

売上収益、パイプライン価値

- 1 XTANDIおよび重点戦略製品*: 2025年度に1.2兆円以上
- 2 Primary Focusから後期開発品を創出
- 3 重要技術基盤の活用・発展
- 4 Focus Area プロジェクト: 2030年度に5,000億円以上

株式時価
総額
7兆円

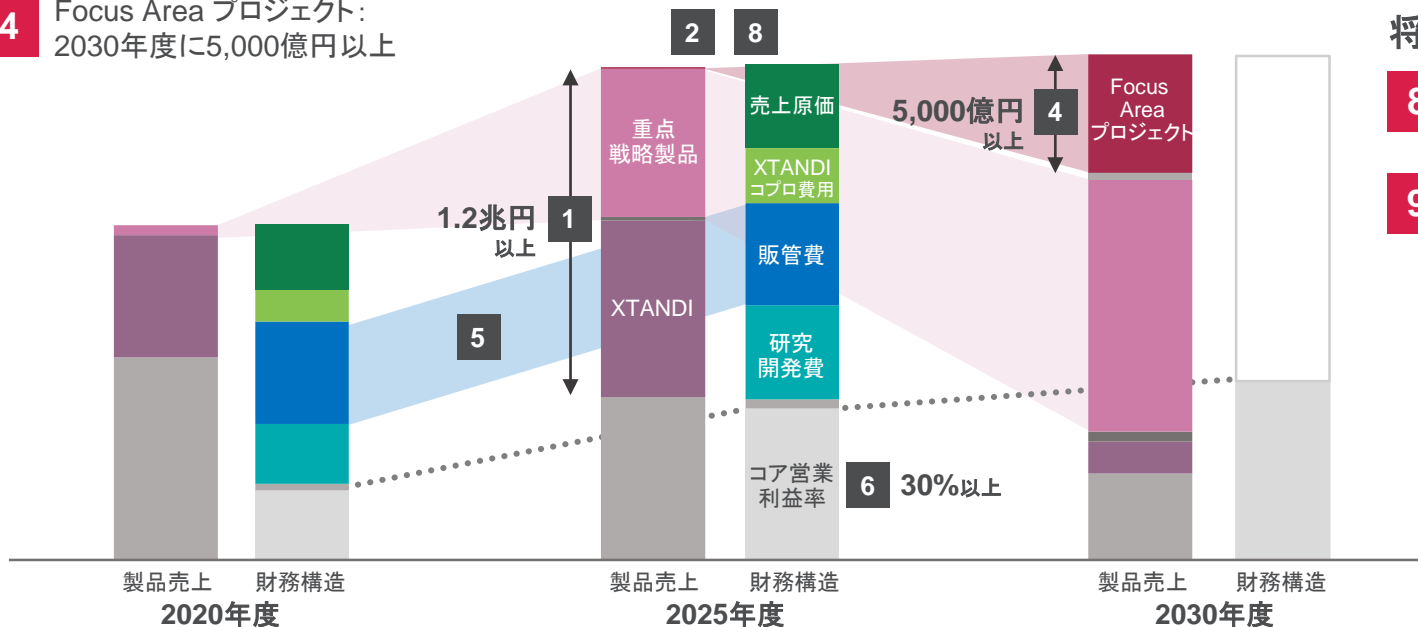
2025年度

コア営業利益

- 5 販管費は絶対額で維持
- 6 十分な研究開発投資
コア営業利益率: 2025年度に30%以上
- 7 配当は安定的に向上


将来成長

- 8 Rx+: 2025年度までにBreakeven
- 9 サステナビリティ



3 7 9

參考資料



4つの目標を追求することで、「価値」の創造と提供を実現

戦略目標1

患者さんのより良い
アウトカムの実現

- i. アステラス製品に対する患者さんの持続的なアクセス
- ii. 患者さんがアステラスの製品から享受するアウトカム

の最大化に取り組む

戦略目標2

科学の進歩を
確かな「価値」へ

- i. 「価値」の実証と Primary Focusの拡大の加速
- ii. バイオ医薬品における最先端のイノベーションの効果的な探索

によって、
Focus Areaアプローチの
実行を新たな次元へ

戦略目標3

Rx+ ビジネスの進展

これまでにない方法で
科学の進歩を患者さんの
「価値」に変えることを
引き続き追求

経営計画2021期間中に、
Rx+ビジネスで複数の
ソリューションを事業化すると
ともに、パイプラインを
充実させプロジェクトを
加速させる

戦略目標4

サステナビリティ向上の
取り組みを強化

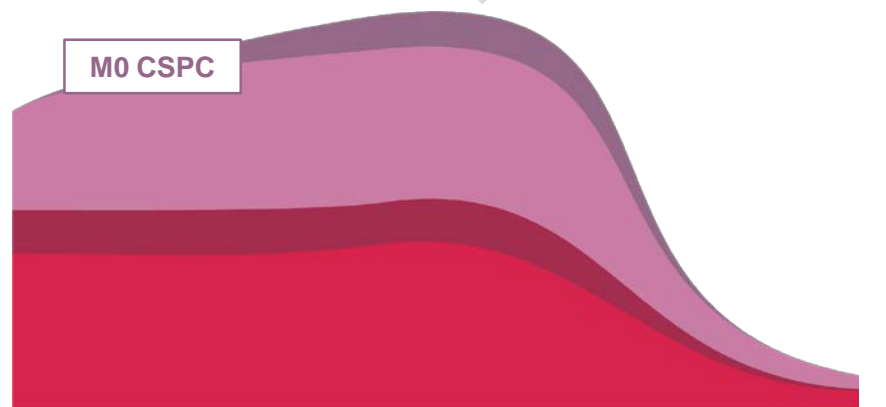
サステナビリティ向上への
取り組みの重要性を認識し、
社会に与えるポジティブな
影響を通じて、社内外からの
信頼を得る

XTANDI(エンザルタミド)の展望

- 幅広い臨床データと豊富な使用経験に基づき、新規ホルモン療法や他の治療法との差別化点を明確に示しながら、対象患者における第一選択薬としてのポジションを強固にする
 - 利便性の高い用法(1日1回服用、食事の影響を受けない)
 - 患者報告QoL(FACT-Pによる)の維持
 - 複数の患者層において、延命や予後を悪化させる転移の進行の遅延を実証

売上予想 (イメージ)

ピーク
6,000-7,000
億円



FY21

FY25

FY30

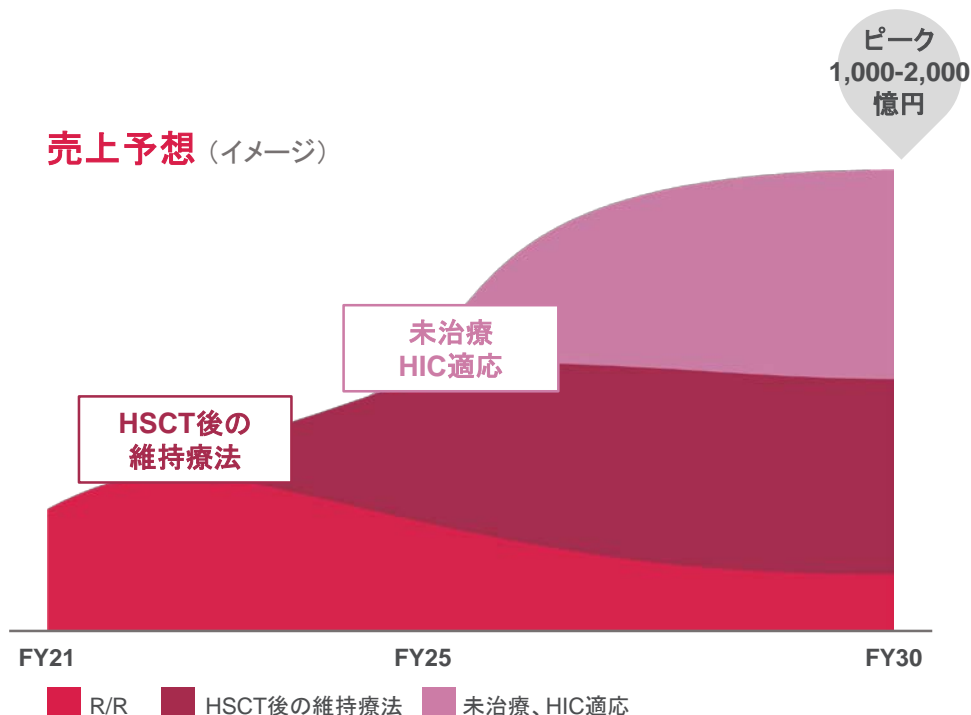
■ M1 CRPC ■ M0 CRPC ■ M1 CSPC ■ M0 CSPC

患者層	ピボタル試験	対象患者数*
M0 CSPC 生化学的再発を認めた 高リスク前立腺がん	EMBARK	~10,000 (米国)
M1 CSPC	ARCHES	~100,000
M0 CRPC	PROSPER	~60,000
M1 CRPC	PREVAIL (化学療法歴なし) AFFIRM (化学療法歴あり)	~100,000

ゾスパタ(ギルテリチニブ)の展望

- ゾスパタの価値が最大化できる対象患者の特定、差別化点の明確化および競合優位なデータを蓄積することで、FLT3遺伝子変異陽性急性骨髄性白血病(FLT3m+ AML)の第一選択薬としてのポジションを確立する
- 造血幹細胞移植(HSCT)後維持療法の適応をはじめ、より早期ステージから治療が開始されると、再発または難治性(R/R)適応の売上は減少していくことが予想されるが、それまでの数年間は伸長を見込む
- より早期ステージの適応に拡大することで、全体の売上は大きく拡大する

売上予想 (イメージ)



患者層	ピポタル試験	対象患者数*
FLT3m+ AML 未治療 強力な化学療法適応	PASHA (HOVON) PrE0905 (PrECOG) [第II相]	7,000
FLT3m+ AML HSCT後の維持療法	MORPHO	3,800
R/R FLT3m+ AML	ADMIRAL	7,700

経営計画2021

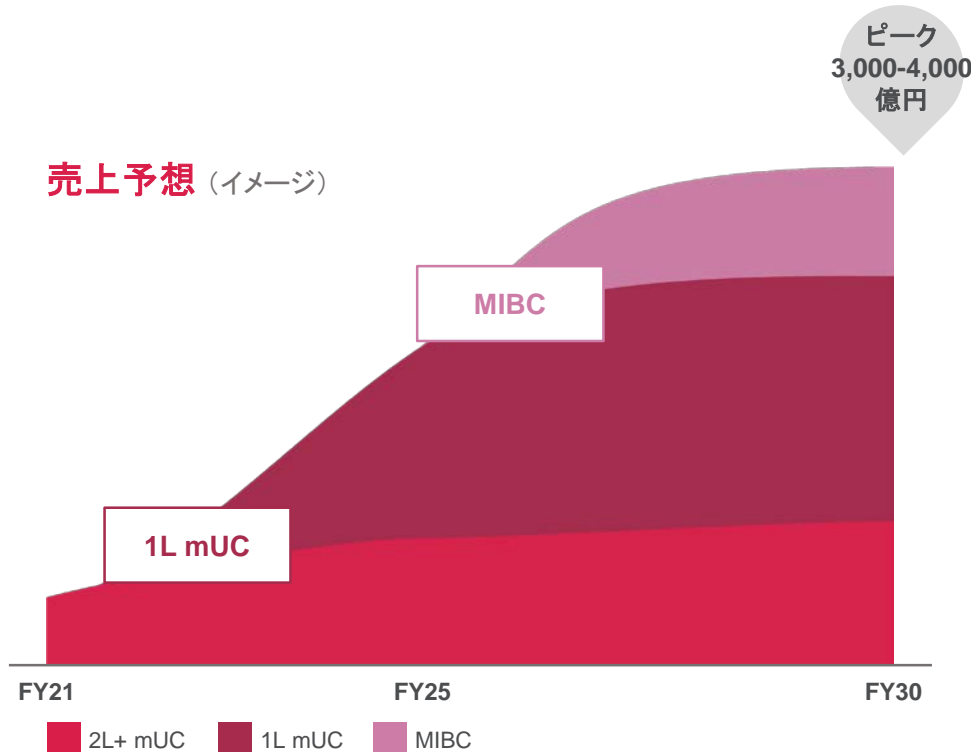
1	2	3
4	5	6
7	8	9

24

PADCEV(エンホルツマブ ベドチン)の展望

- 転移性尿路上皮がん(mUC)および筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)の各適応症において、強固な臨床試験結果に基づき最初に上市し、第一選択薬のポジションを確立する
- 尿路上皮がんの新たなグローバル標準治療薬として、臨床でのエビデンスと経験を蓄積・強化する
- 今後の最大の成長ドライバーは、ペムブロリズマブを併用投与するmUCの一次治療であり、白金製剤無しのmUC一次治療として、この併用投与が治療アルゴリズムを変える可能性がある

売上予想 (イメージ)



患者層	ピボタル試験 (PADCEV用法)	対象患者数*
MIBC シスプラチン不適応	EV-303 / KEYNOTE-905 (ペムブロリズマブとの併用)	10,000
MIBC シスプラチン適応	EV-304 / KEYNOTE-B15 (ペムブロリズマブとの併用)	37,000
mUC 治療歴なし (一次治療)	EV-302 EV-103コホート [第 I b/II 相; 米国での迅速承認申請の可能性] (ペムブロリズマブとの併用)	76,000
mUC PD-1/L1 阻害剤による 治療歴あり、かつ シスプラチン不適応	EV-201 コホート2 [第 II 相] (単剤)	1,600 (米国)
mUC 白金製剤および PD-1/L1 阻害剤による 治療歴あり	EV-301 EV-201 コホート 1 [第 II 相; 米国での迅速承認] (単剤)	38,000

経営計画2021

1	2	3
4	5	6
7	8	9

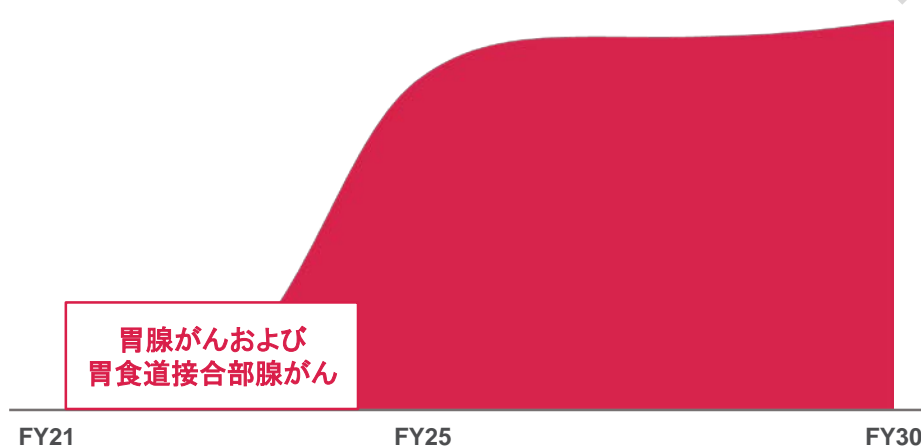
25

ゾルベツキシマブの展望

- HER2陰性およびClaudin 18.2陽性の胃腺がんおよび胃食道接合部腺がんにおいて、第一選択薬としてのポジションを確立する
 - 転移性胃がんは、ステージ4における5年生存率が4%以下で、治療オプションも限られている、アンメットニーズが非常に高い疾患である
 - 胃がん患者の33-37%で、Claudin 18.2の高発現が認められる
 - 治療に際し、医師が、高品質で再現性のあるClaudin 18.2検査にタイムリーにアクセスできるようにする
- 膵臓腺がん対象の臨床試験も進行中

売上予想 (イメージ)
(膵臓腺がん含まず)

ピーク
1,000-2,000
億円



患者層	ピポタル試験 (ゾルベツキシマブ用法)	対象患者数*
HER2陰性および CLDN 18.2陽性 胃腺がんおよび 胃食道接合部腺がん (一次治療)	SPOTLIGHT (mFOLFOX6との併用)	~82,000
	GLOW (CAPOXとの併用)	

エベレンゾ(ロキサデュスタット)の展望

- 慢性腎臓病(CKD)に伴う貧血の治療において、ESAとの差別化を図りながら、経口投与可能なHIF-PH阻害薬のファーストインクラスとして、新たな治療オプションのポジションを確立する
- 欧州およびインターナショナルマーケットに属する一部の国々では、2021年度半ば以降に、透析期のみならず、重要な患者層である保存期の適応も同時に上市することを見込んでいる。今後1-2年間はHIF-PH阻害薬の競合がなく、CVアウトカム(心血管安全性評価)を含む一連のグローバルデータ、ならびに上市が先行した日本での経験も活用できるなどの利点がある

売上予想 (イメージ)

ピーク
500-1,000
億円

CKDに伴う貧血

FY21

FY25

FY30

患者層	ピポタル試験	対象患者数*
CKD(透析期)に伴う貧血	<u>欧州</u> HIMALAYAS PYRENEES SIERRAS ROCKIES	<u>診断</u> 欧州(EU5): 210k 日本: 295k
	<u>日本</u> 1517-CL-0302 1517-CL-0307 1517-CL-0308 1517-CL-0312	<u>治療</u> 欧州(EU5): 196k 日本: 282k
CKD(保存期)に伴う貧血	<u>欧州</u> ANDES ALPS DOLOMITES OLYMPUS	<u>診断</u> 欧州(EU5): 1.8M 日本: 408k
	<u>日本</u> 1517-CL-0310 1517-CL-0314	<u>治療</u> 欧州(EU5): 1.3M 日本: 216k

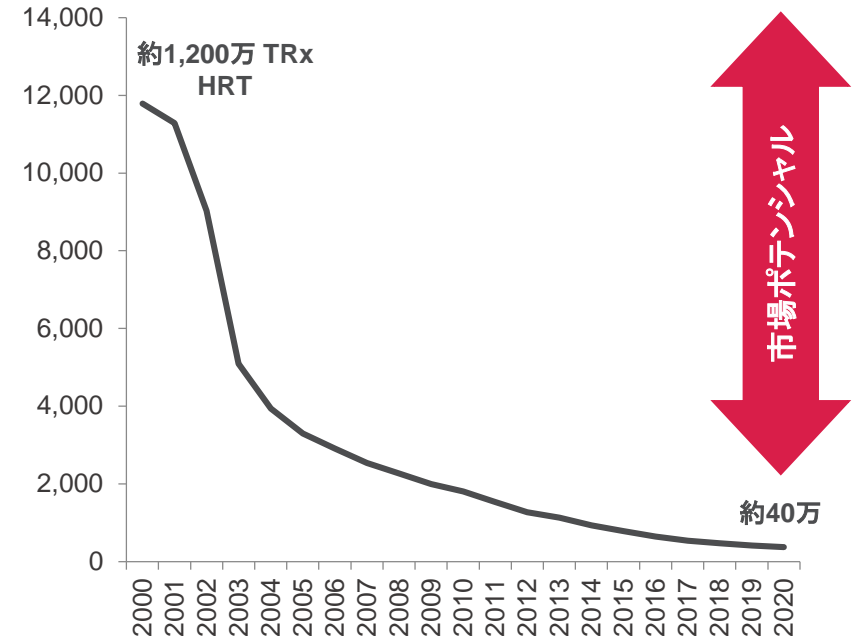
fezolinetant MR-VMS: 米国における歴史とアンメットメディカルニーズ

- 米国では、約1,200万人の女性が中程度から重度の血管運動神経症状(VMS)によるネガティブな影響を受けている
- ホルモン補充療法(HRT)を受けている女性の数の減少は、安全で有効な非ホルモン補充療法のニーズを反映している

状況	詳細
2001年までは、HRTがVMSの標準治療だった	<ul style="list-style-type: none"> • 何十年にもわたり、更年期症状の治療としてHRTが広く使用されてきた • 2000年時点のMR-VMS市場: 年間約1200万人の女性が治療を受けた
2001年に、Women's Health Initiative (WHI) がMR-VMS市場を根本から変えた	<ul style="list-style-type: none"> • WHIによる臨床研究により、HRTはVMS治療として効果はあるものの、乳がん、冠動脈疾患、脳卒中および静脈血栓塞栓症のリスクの増加と関連していることが示された • 多くの女性は、HRT不適応となったり、あるいは、HRTに関連したリスクを懸念している
現時点で、HRTの代替となる効果的なVMS治療はなく、女性はVMSに苦しめられている	<ul style="list-style-type: none"> • 新たな非ホルモン補充療法が導入された後も引き続きアンメットメディカルニーズは存在する • HRTを避け、ライフスタイルの改善や代替療法による症状軽減を期待するものの、多くの場合、それらの効果は限定的との報告あり

米国で Premarinファミリー治療を受ける患者の年間総数*

Premarinファミリー TRx患者数(単位: 1000)



経営計画2021

1	2	3
4	5	6
7	8	9

28

fezolinetantの展望

- 視床下部で作用しVMSの頻度および重症度を減少させるニューロキニン3(NK3)受容体拮抗薬であり、ファーストインクラスの非ホルモン補充療法として、閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する女性にとって新たな治療選択肢となる可能性がある
- 最近得られた米国・欧州ピボタル試験の良好な結果により、その可能性に対する自信が一層高まっている

売上予想 (イメージ)

ピーク
3,000-5,000
億円

2本の米国・欧州第Ⅲ相ピボタル試験(SKYLIGHT 1および2)の12週二重盲検期間のトップライン結果

- 2用量(30 mg、45mg)とも両時点(4週、12週)において、2つの主要評価項目を達成
- 問題となる新たな安全性所見なし

患者層	ピボタル試験	対象患者数*
閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者	米国・欧州 SKYLIGHT 1 SKYLIGHT 2 SKYLIGHT 4 (長期)	米国・欧州: 22M
	アジア MOONLIGHT 1 MOONLIGHT 3 (長期)	日本・中国: 8M

FY21

FY25

FY30

閉経に伴う
中等度から重度のVMS

1	2	3
4	5	6
7	8	9

AT132(resamirigene bilparvovec)の展望

- X連鎖性ミオチューブラーミオパチー(XLMTM)は、MTM1遺伝子の機能欠損変異が原因で起こるX染色体連鎖性の希少神経筋疾患であり、アンメットメディカルニーズが非常に高い
 - 新生児男子4-5万人におよそ1人の割合で発生し、生後18ヵ月時点の推定生存率は約50%
 - 約60%の患者で、気管切開による侵襲的人工呼吸管理が最長24時間必要
 - 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
- AT132は、1回の投与で疾患の根本的な原因に作用し、人工呼吸器からの離脱、運動機能改善、そして患者とその家族のQoLを改善することに寄与する、初めてかつ唯一の遺伝子治療薬となることが期待される

売上予想 (イメージ)

ピーク
500-1,000
億円



患者層	ピポタル試験
XLMTM 5歳未満	ASPIRO
XLMTM 5歳以上18歳未満	(実施予定)