

# 2021年度第2四半期決算概況



2021年10月29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 2021年度第2四半期 連結業績  
2021年度業績 修正予想

II 持続的な成長に向けた取り組み

# 2021年度第2四半期業績および修正予想の概要

前同比較で売上収益は6%増加、コア営業利益は減少  
通期予想の前提に沿った業績

- XTANDIおよび重点戦略製品の売上は想定通り拡大  
販売契約終了や製品譲渡による売上の減少をカバー
- 販管費は若干想定を上回る進捗、研究開発費は想定通り使用
- 結果、コアベースの通期予想は据え置き

フルベース：利益段階は通期予想を下方修正

- 業績予想に織り込んでいないゾルベツキシマブの条件付対価に係る公正価値  
変動額をその他の費用として計上(87億円)

# 2021年度第2四半期業績

5

(億円)	20年度2Q	21年度2Q	増減額	増減率	21年度 通期予想*	進捗率	為替の影響
売上収益	6,155	6,517	+362	+5.9%	13,230	49.3%	+245億円
売上原価	1,195	1,247	+52	+4.3%			
売上収益比率	19.4%	19.1%	-0.3 ppt				
販管費	2,421	2,705	+284	+11.7%	5,410	50.0%	
内、米国XTANDI共同販促費用	609	711	+102	+16.8%			
上記を除く販管費	1,813	1,994	+181	+10.0%			
研究開発費	1,117	1,191	+74	+6.6%	2,420	49.2%	
無形資産償却費	115	124	+8	+7.2%			
コア営業利益	1,303	1,253	-50	-3.8%	2,700	46.4%	+115億円
<b>&lt;フルベース&gt;</b>							
その他の収益	43	28	-14	-			
その他の費用	477	380	-97	-			
営業利益	869	902	+33	+3.8%	2,270	39.7%	
税引前四半期利益	891	891	-0	-0.0%	2,250	39.6%	
四半期利益	728	716	-12	-1.7%	1,830	39.1%	

\* 2021年7月公表

# 2021年度第2四半期業績：売上収益

XTANDIおよび重点戦略製品の成長で販売契約終了、製品譲渡による売上の減少をカバーして増収

	20年度2Q	21年度2Q	増減額	増減率
売上収益	6,155億円	6,517億円	+362億円	+5.9%

XTANDIおよび重点戦略製品の増加

XTANDI、ゾスパタ、パドセブ、エベレンゾ

**+518**億円



➤ 前年度1QにCOVID-19の影響を大きく受けたレキスキャンの売上は回復 +108億円

販売契約終了、製品譲渡の影響

セレコックス、リピトール、エリガード

**-259**億円



# 2021年度第2四半期業績：主要製品売上

## 2021年度2Q実績および通期予想

**XTANDI** 前同：+421億円(+19%)  
2,676億円 通期予想進捗率：48%

期初予想：5,572億円 → 修正予想：5,541億円

- ✓ グローバル売上は二桁成長、予想通りの推移
- ✓ 米国に加え、M1 HSPCの適応を取得した欧州で売上拡大
- ✓ 保険償還が開始された中国では物量が想定を上回り増加

**ゾスパタ** 前同：+55億円(+50%)  
165億円 通期予想進捗率：45%

期初予想：367億円 → 修正予想：354億円

- ✓ グローバル売上は拡大、予想通りの推移  
(主に米国、欧州で売上拡大)
- ✓ 新たに発売となった中国でも売上貢献開始

**パドセブ** 前同：+31億円(+52%)  
91億円 通期予想進捗率：45%

期初予想：201億円 → 修正予想：207億円

- ✓ 米国での売上拡大は予想通りの推移
- ✓ NCCNガイドラインにおいて、シスプラチン不適応mUC二次治療  
に対する治療としてCategory 2Aに分類

**エベレンゾ** 前同：+11億円(+319%)  
14億円 通期予想進捗率：16%

期初予想：86億円 → 修正予想：72億円

- ✓ 日本での売上は着実に増加、今後更なる成長を見込む
- ✓ 欧州では2021年9月に発売

**ミラベグロン** 前同：+44億円(+6%)  
844億円 通期予想進捗率：48%

期初予想：1,752億円 → 修正予想：1,763億円

- ✓ グローバル売上は拡大、予想通りの推移  
(主に日本、エスタブリッシュドマーケットで売上拡大)
- ✓ 米国でのOAB市場の成長が想定を下回っており、  
予想に対して遅れて推移



# 2021年度第2四半期業績：費用項目

販管費は前同比較で増加し、若干想定を上回る進捗  
 研究開発費は前同比較で増加しているが、想定通りに使用

## コアベース：主要な費用項目の前同比較と予想進捗

**売上原価率** ↓  
 前同：0.3ppt低下

- ✓ 主に製品構成の変化により低下

**販管費** ↑  
 前同：11.7%増加  
 通期予想進捗率：50.0%

- ✓ 米国XTANDI共同販促費用を除く販管費は181億円増加(+10.0%)
- ✓ 為替の影響(+84億円)
- ✓ グローバル化に伴うシステムへの投資(約+50億円)
- ✓ 新製品上市・育成に向けた販促費用の増加(約+30億円)

**研究開発費** ↑  
 前同：6.6%増加  
 通期予想進捗率：49.2%

- ✓ ゾルベツキシマブの開発費用の増加に加え、iotaへの投資を拡大
- ✓ fezolinetantの開発費用が減少
- ✓ 通期予想に対しては想定通り推移



# 2021年度通期業績 修正予想 : サマリー

## ● 売上収益は据え置き

- XTANDIおよび重点戦略製品は概ね想定通りの推移

## ● 費用

- 販管費は若干想定を上回る進捗だが、通期ではコントロール可能
  - ✓ 四半期単位での予算管理の徹底
  - ✓ 製品ポートフォリオの変化に伴うグローバルでの要員最適化
- 研究開発費は想定通りに使用

## ● 結果、コア営業利益は据え置き

## ● フルベースの利益段階は7月に公表した予想を下方修正

- ゾルベツキシマブの膵臓腺がんの開発計画を見直し、条件付対価に係る公正価値変動額をその他の費用として2Qに計上(87億円)

# 2021年度通期業績 修正予想

- コアベースの通期業績予想は据え置き
- フルベースの通期業績予想は下方修正

(億円)	前回予想 (2021年7月公表)	修正予想 (2021年10月公表)	差異
営業利益	2,270	2,180	-90
当期利益	1,830	1,740	-90

# 本日の内容

11

I  
2021年度第2四半期 連結業績  
2021年度業績 修正予想

II  
持続的な成長に向けた取り組み

# XTANDIおよび重点戦略製品の進捗ハイライト(1/2)

12

## 2021年度に期待される主なイベント

マイルストーン	プロジェクト/製品	適応症 または 臨床試験	達成 (赤字: 前回の決算発表以降)
当局の判断	エンザルタミド / XTANDI	転移性ホルモン感受性前立腺がん(欧州)	2021年4月
	エンホルツマブ ベドチン / パドセブ	白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴のあるmUC(米国 <sup>a,b</sup> )	2021年7月
		シスプラチン不適応で治療歴のあるmUC(米国 <sup>a</sup> )	2021年7月
		白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴のあるmUC(欧州 <sup>c</sup> )	
		がん化学療法後に増悪した根治切除不能な尿路上皮癌(日本 <sup>d</sup> )	2021年9月
ロキサデュスタット / エベレンゾ	慢性腎臓病に伴う症候性貧血(欧州)	2021年8月	
申請	ギルテリチニブ / ゾスパタ	再発または難治性のAML(中国 <sup>e</sup> )	
データ判明	fezolinetant	第Ⅲ相試験SKYLIGHT 1、2および4の52週データ	2021年7月(SKYLIGHT 2) 2021年10月(SKYLIGHT 1)

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: 迅速審査から標準的期間で審査進行中

d: 優先審査に指定

e: 条件付き承認を完全承認に変更するためのsNDA



重点戦略製品: ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

mUC: 転移性尿路上皮がん、AML: 急性骨髄性白血病、sBLA: Supplemental Biologics License Application、sNDA: Supplemental New Drug Application

# XTANDIおよび重点戦略製品の進捗ハイライト(2/2)

13

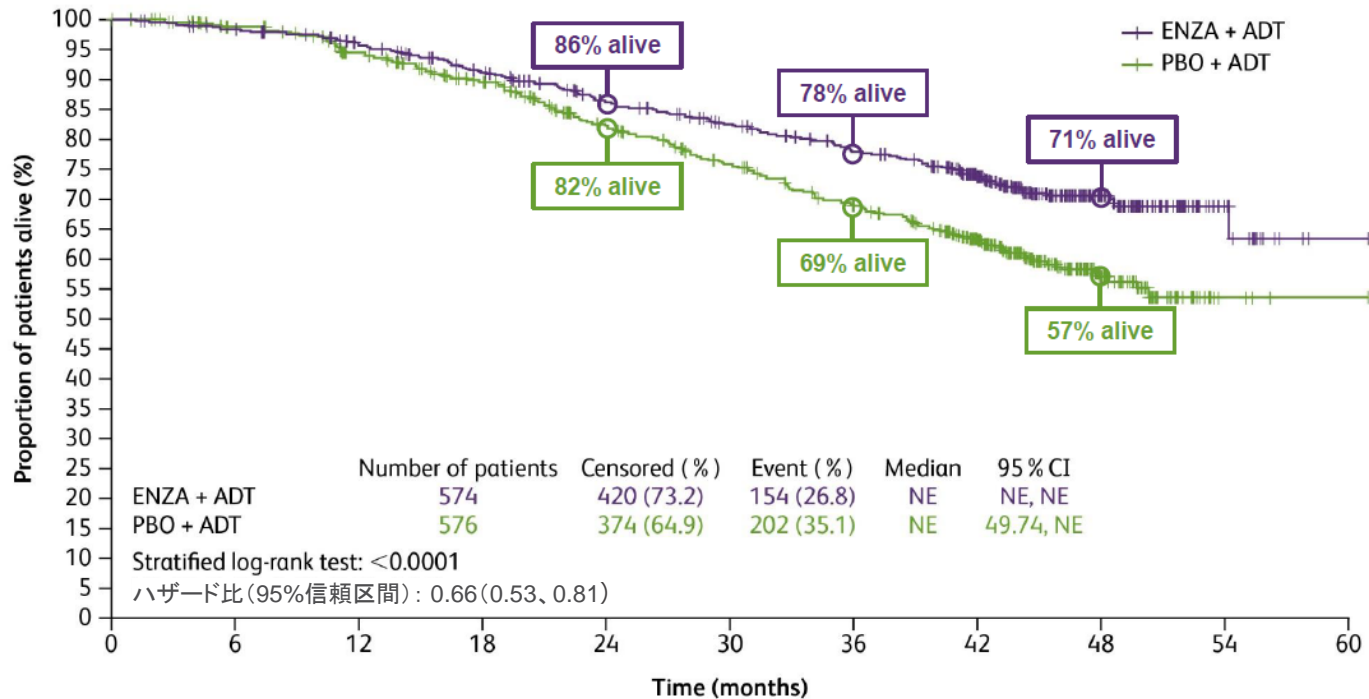
## その他のアップデート(前回の決算発表以降)

プロジェクト/製品	適応症	最新状況
エンザルタミド / XTANDI	転移性去勢感受性前立腺がん	第Ⅲ相ARCHES試験の全生存期間データを2021年9月に欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で発表
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ	治療歴のないmUC	EV-103試験コホートK(ペムブロリズマブとの併用)の組み入れを2021年10月に完了
ゾルベツキシマブ	膵臓腺がん	第Ⅱ相試験の規模拡大のためプロトコル改訂
ロキサデュスタット / エベレンゾ	化学療法に伴う貧血	第Ⅱ相試験トップライン結果を2021年8月に入手
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	第Ⅲ相SKYLIHGHT 2試験の12週データを2021年9月に北米閉経学会(NAMS)で発表 ホルモン補充療法不適応の患者を対象とする第Ⅲb相DAYLIGHT試験を2021年10-12月に開始予定
AT132 (resamirigene bilparvovec)	X連鎖性 ミオチューブラーミオパチー	重篤な有害事象により、2021年9月にFDAから臨床試験差し止め(clinical hold)指示



# エンザルタミド(XTANDI) (1/2) : 第Ⅲ相ARCHES試験における全生存期間データ

転移性去勢感受性前立腺がん患者における全生存期間(OS)データを  
2021年欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で発表: 死亡リスクを34%減少



#### Patients at risk

	0	6	12	18	24	30	36	42	48	54	60
ENZA + ADT	574	559	535	498	457	427	396	316	120	17	1
PBO + ADT	576	548	511	468	404	363	322	232	80	4	1



# エンザルタミド(XTANDI) (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	早期 <span style="float: right;">後期</span>					
	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)	✓ HR 0.66	✓ HR 0.67	✓ HR 0.73	✓ HR 0.77	✓ HR 0.63
投与期間 (DoT)	(試験進行中)	✓ 40.2ヵ月	✓ 29.5ヵ月	✓ 33.9ヵ月	✓ 17.5ヵ月	✓ 8.3ヵ月

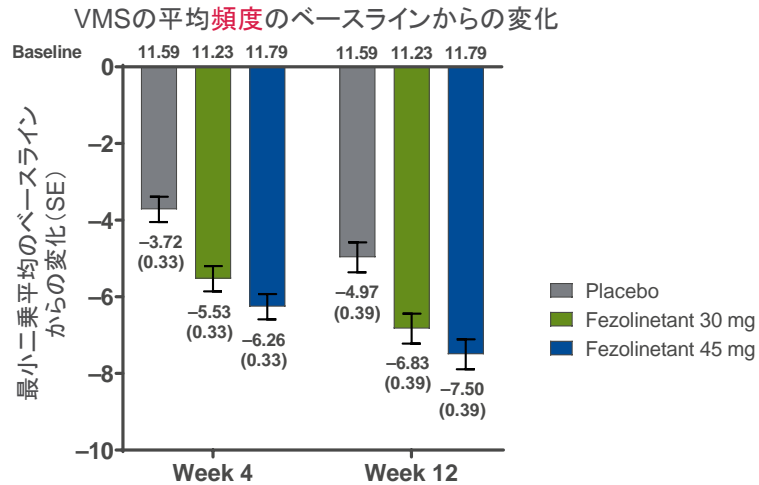
✓: 結果入手済、\*: 事前に設定した中間解析、黄: 最近開示された結果(@ESMO 2021)



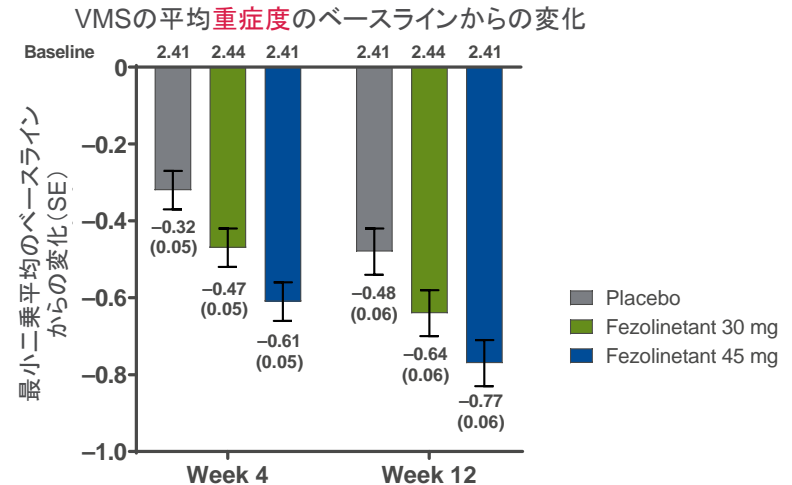
# fezolinetant: 第Ⅲ相試験データ

SKYLIGHT 2試験の12週データを2021年北米閉経学会 (NAMS) で発表  
SKYLIGHT 1試験の52週データを入手

<SKYLIGHT 2: 主要評価項目> すべての評価項目を達成



プラセボに対する平均変化量 (SE)	Fezolinetant 30 mg	Fezolinetant 45 mg
<b>Week 4</b>	-1.82 (0.46) P<0.001	-2.55 (0.46) P<0.001
<b>Week 12</b>	-1.86 (0.55) P<0.001	-2.53 (0.55) P<0.001



プラセボに対する平均変化量 (SE)	Fezolinetant 30 mg	Fezolinetant 45 mg
<b>Week 4</b>	-0.15 (0.06) P=0.021	-0.29 (0.06) P<0.001
<b>Week 12</b>	-0.16 (0.08) P=0.049	-0.29 (0.08) P<0.001

<SKYLIGHT 2: 安全性> いずれの用量においても、懸念となる明らかな安全性のシグナルは認められず

<SKYLIGHT 1: 52週データ> 2021年10月に52週データ入手、fezolinetantの長期使用を支持

=> 安全性の総合的評価結果はSKYLIGHT 4試験を含む3本の第Ⅲ相試験完了時に入手予定



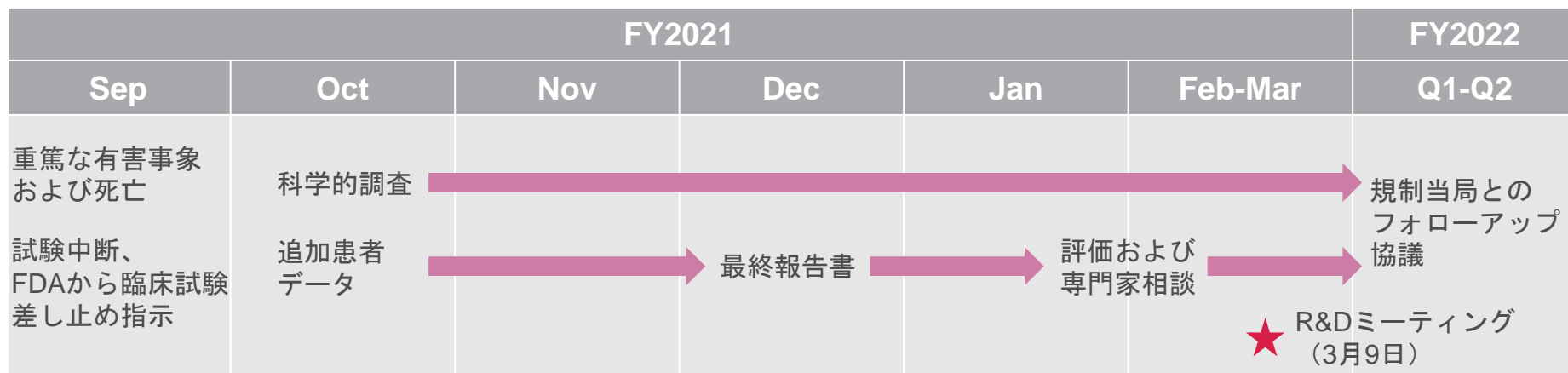


# AT132(resamirigene bilparvovec) : 最新状況

17

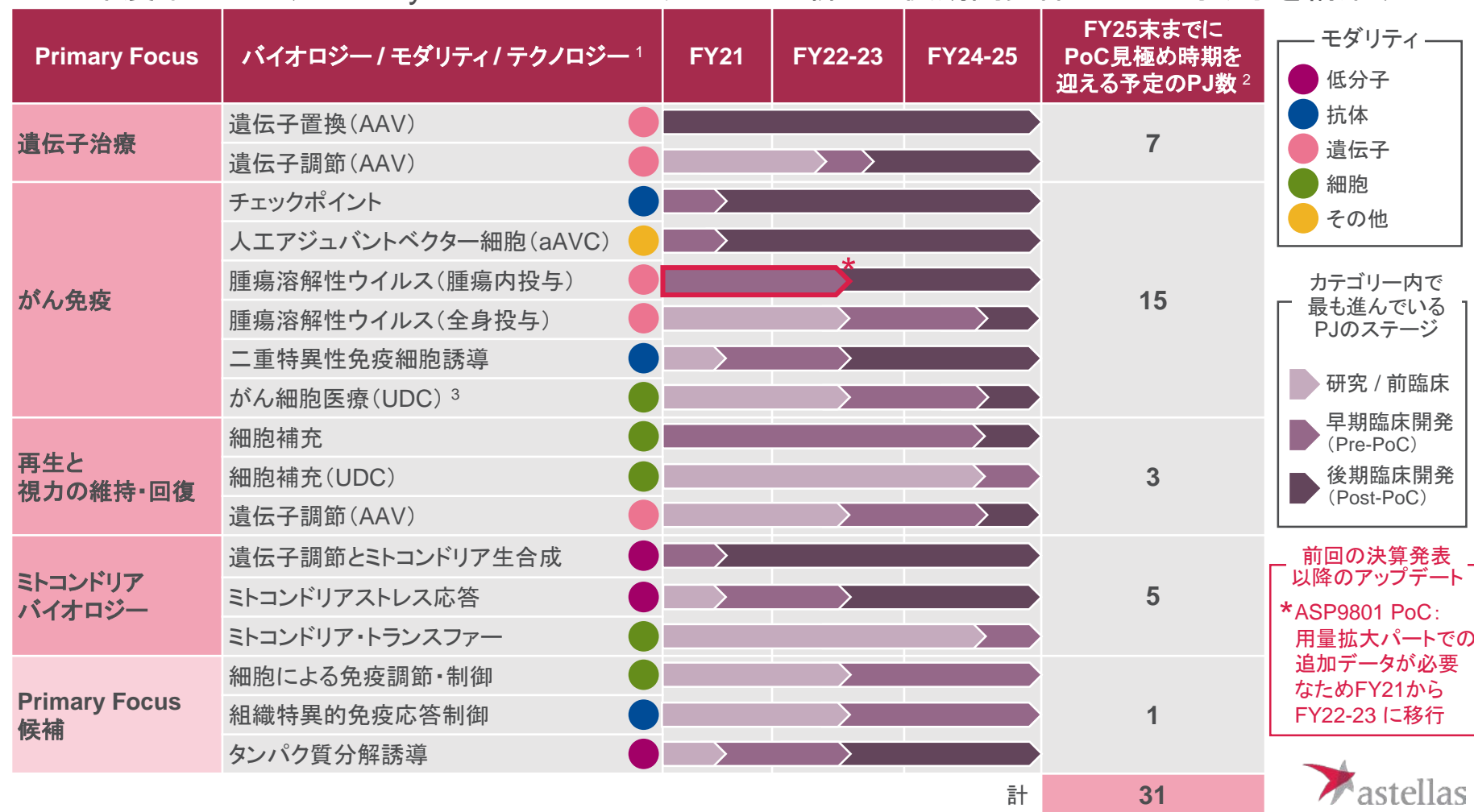
XLMTM患者を対象にしたASPIRO試験における重篤な有害事象により、FDAから臨床試験差し止め(clinical hold)指示

- 2021年9月にFDAから臨床試験差し止め通知を受領
- 病理所見による追加の患者データを元にしたフォローアップ分析を12月まで実施予定
- 追加患者データの分析結果と専門家からの助言および科学的調査に基づき、規制当局との協議を2022年初めに開始予定
- AT132の今後の方向性は規制当局との協議後に決定
- 2022年度の申請は実施できないと判断
- 詳細は2022年3月9日のR&Dミーティングで説明予定



# Focus Areaアプローチの進展(1/2): 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. 全てを列挙していない、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10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

# Focus Areaアプローチの進展(2/2) : Primary Focus現況

Primary Focus	バイオロジー/モダリティ/テクノロジー <sup>1</sup>	プロジェクト	現況
遺伝子治療	遺伝子置換(AAV)	AT132	(「XTANDIおよび重点戦略製品」スライドを参照)
	遺伝子調節(AAV)	AT845	第 I 相試験進行中
がん免疫	チェックポイント	ASP1948	第 I 相試験進行中
		ASP1951	第 I 相試験進行中
	人工アジュバントベクター細胞(aAVC)	ASP7517	再発または難治性AMLおよびMDS対象第 II 相試験のFSFTを2021年10月に達成 進行性固形がん対象第 I 相試験を2021年10-12月に開始予定
		ASP0739	第 I 相試験を2021年10-12月に開始予定
	腫瘍溶解性ウイルス(腫瘍内投与)	ASP9801	第 I 相試験進行中(用量拡大パートに移行)
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)		
	二重特異性免疫細胞誘導		
	がん細胞医療(UDC)		
再生と視力の維持・回復	(その他)	ASP1570	第 I 相試験を2021年10-12月に開始予定
	細胞補充	ASP7317	製造遅延により、第 I b相試験における新規症例組み入れを中断中
	細胞補充(UDC)		
ミトコンドリアバイオロジー	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP1128	前期第 II 相試験において、無益性の中間解析に基づき、新規症例の組み入れを中止
		ASP0367	PMM患者対象第 II/III相試験進行中 DMD患者対象第 I b相試験進行中
	ミトコンドリアストレス応答		
	ミトコンドリア・トランスファー		
Primary Focus候補	細胞による免疫調節・制御		
	組織特異的免疫応答制御		
	タンパク質分解誘導		

モダリティ
● 低分子
● 抗体
● 遺伝子
● 細胞
● その他

下線: 前回の決算発表以降の進捗、 1. 全てを列挙していない

AAV: アデノ随伴ウイルス、UDC: ユニバーサルドナー細胞、AML: 急性骨髄性白血病、MDS: 骨髄異形成症候群、FSFT: 最初の症例への投与、

PMM: 原発性ミトコンドリアミオパチー、DMD: デュシェンヌ型筋ジストロフィー

# Rx+プログラムの進展(1/2)



## 2021年度に期待される主なイベント(2021年4月発表)

スフィア *	プログラム	イベント	達成
慢性疾患の重症化予防	Fit-eNce	自宅で実施可能なサービス (Fit-eNce Home) のパイロット販売開始	2021年9月
	運動支援ゲームアプリ	パイロット販売開始	
	BlueStar	臨床試験開始(日本)	
	マイホルターII	サービス事業化	2021年7月
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	

## 上記以外の進捗

スフィア *	プログラム	イベント	達成
慢性疾患の重症化予防	心電計による検査サービス	Nitto、エムハートと提携	2021年9月

# Rx+プログラムの進展(2/2): 心電計による検査サービスでNitto、エムハートと提携



使い切りホルター心電計、AIを用いたホルター心電図解析サービスで  
心房細動の早期発見に向けたトータルソリューションを提供

## 使い切り心電計「EG Holter」

- 使い切りが可能で衛生的な小型デバイス:  
厚さ6 mm、重さ11 g、コードレス、防水機能 (IPX4)
- エムハートが2021年8月に医療機器(クラスII) 認証取得
- Nittoが開発・製造し、アステラスによるパイロット 販売を経た後、日本において全国展開を目指す



使い切りホルター心電計「EG Holter」

## 心電図解析サービスとの組み合わせ

- エムハートと共同開発したマイホルターIIと組み合 わせたトータルソリューションを提供することにより、 心房細動等の早期発見と適切な治療を推進する



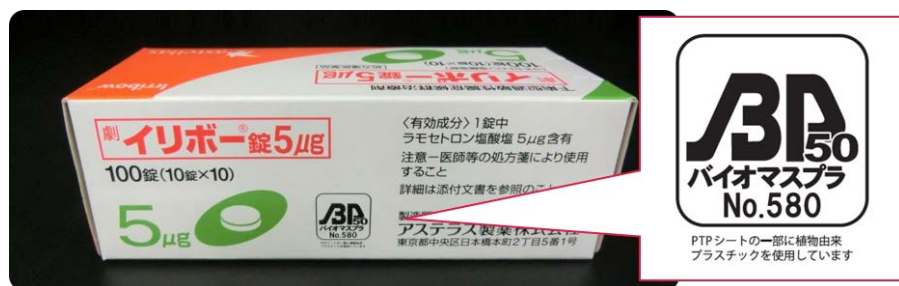
EG Holterによる解析の流れ

# サステナビリティ: 環境への取り組み



## 世界初、医薬品包装資材用PTPシートに環境に優しい バイオマスプラスチックを採用

- バイオマスプラスチックであるサトウキビ由来のポリエチレンを原料の50%に使用しており、温室効果ガスの排出量と吸収量を均衡させる「カーボンニュートラル」の考え方に合致する、環境に優しい包装
- 日本国内向けの下痢型IBS治療剤「イリボー錠5μg」から商用生産を開始
- 他の製品についても、従来の石油由来プラスチック製PTPシートからの切り替えを検討



2022年2月28日にサステナビリティ説明会を開催予定



# 経営計画2021達成に向けた進展

## 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

- ✓ 意欲的な売上予想に対して想定通り推移
- ✓ XTANDI: ARCHES試験OSデータ入手
- ✓ パドセブ: 日本承認取得、1L mUC臨床試験 (EV-103 コホートK) 組み入れ完了
- ✓ エベレンゾ: 欧州承認取得
- ✓ fezolinetant: SKYLIGHT 2試験有効性データ公表

**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

- ✓ AT132: 臨床試験再開に向けた複数のシナリオ検討
- ✓ ASP7517 (AML、MDS): 第II相試験FSFT
- ✓ 新たな研究組織体制への移行

## 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

- ✓ 新製品発売に向けた投資
- ✓ 四半期単位での予算管理徹底

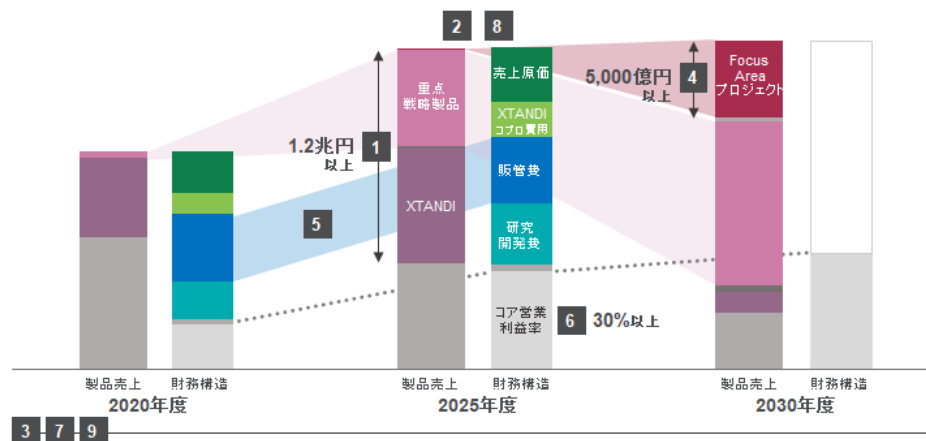
## 将来成長

**8** Rx+: 2025年度までにBreakeven

- ✓ Fit-eNce Home試験販売開始
- ✓ 心電計検査サービスの提携

**9** サステナビリティ

- ✓ バイオマスプラスチックPTPシート採用



重点戦略製品: ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

OS: 全生存期間、1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、AML: 急性骨髄性白血病、MDS: 骨髄異形成症候群、FSFT: 最初の症例への投与

## R&D ミーティング


- 2021年12月7日(火) 15:30-16:45  
-新たな研究組織体制について-
- 2022年3月9日(水) 9:30-11:00  
-遺伝子治療への取り組み-

## サステナビリティ説明会

- 2022年2月28日(月) 15:00-16:30



# 參考資料



# 2021年度第2四半期実績：地域別売上収益

26

(億円)	20年度2Q	21年度2Q	増減率
日本	1,442	1,305	-9.5%
米国	2,367	2,701	+14.1%
エスタブリッシュドマーケット	1,389	1,574	+13.3%
グレーターチャイナ	296	331	+11.8%
インターナショナルマーケット	567	553	-2.5%

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

# 2021年度第2四半期実績：主要製品の売上

(億円)	20年度 2Q	21年度 2Q	増減率	為替の影響を 除いた増減率	21年度 修正予想*
XTANDI	2,255	2,676	+18.7%	+13.9%	5,541
ゾスパタ	110	165	+50.3%	+44.4%	354
パドセブ	60	91	+51.5%	+47.6%	207
エベレンゾ	3	14	+319.1%	+316.7%	72
ミラベグロン	800	844	+5.5%	+2.2%	1,763
プログラフ	896	923	+3.0%	-2.7%	1,857

パドセブは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)

# 2021年度第2四半期業績： 主要製品のビジネスアップデート

28

## XTANDI

グローバル売上は予想通り拡大、今後も継続成長を見込む。米国は物量で前同15%増加。欧州ではM1 HSPCの適応追加後、保険償還が開始(ドイツ、英国、スペイン、スイス、オランダ)され、売上が増加。また、2021年3月に保険償還が開始された中国では物量が想定を上回り増加

## ゾスパタ

各地域での売上は拡大、グローバル売上は予想通りの推移。2021年4月に発売となった中国での売上は、良好な立ち上がりを示している(2Q累計実績:10億円)

## パドセブ

米国では適応追加後(2021年7月)、売上は予想通り拡大。NCCNガイドラインにおいて、シスプラチン不適応mUC二次治療に対する治療としてCategory 2Aに分類。日本でも2021年9月にがん化学療法後に増悪した根治切除不能な尿路上皮癌の効能・効果で承認取得

## エベレンゾ

日本の売上はHIF-PH阻害薬の使用拡大に伴い着実に増加。欧州では2021年8月に承認取得、同年9月からドイツや英国で発売。オランダでは同年10月から発売となり保険償還開始

## ミラベグロン

グローバル売上は拡大、予想通りの推移。主に日本やエスタブリッシュドマーケットで売上拡大。米国ではOAB市場の成長が想定を下回っており、物量増加が予想に対して遅れて推移



# 為替レート(実績)

## 期中平均レート

通貨	20年度2Q	21年度2Q	変動
ドル	107円	110円	3円安
ユーロ	121円	131円	10円安

## 期首 - 期末レートの変動

通貨	20年度2Q	21年度2Q
ドル	3円高	1円安
ユーロ	5円安	1円高

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益: 245億円の増加、コア営業利益: 115億円の増加
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 -0.1 ppt

# 2021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)	21年度期初予想	21年度修正予想
ドル	110円	110円
ユーロ	130円	130円

2021年度3Q以降の為替レートの想定：1ドル110円、1ユーロ130円

## 2021年度修正予想の為替感応度(3Q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64億円減少	約8億円減少	約6億円増加
ユーロ	約28億円減少	約10億円減少	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)	21年3月末	21年9月末
総資産	22,736	22,615
現金及び現金同等物	3,261	3,183
親会社所有者帰属持分	13,861	14,176
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.0%	62.7%

(億円)	20年度2Q	21年度2Q	20年度
営業CF	1,150	1,394	3,068
投資CF	-383	-557	-819
フリーCF	767	836	2,249
財務CF	-1,097	-899	-2,295
社債及び短期借入金の増減額	-1,420	-400	-2,060
長期借入れによる収入	800	-	800
配当金支払額	-372	-389	-762

社債および借入金残高：1,600億円(前期末から返済により400億円減少)

# キャピタルアロケーション

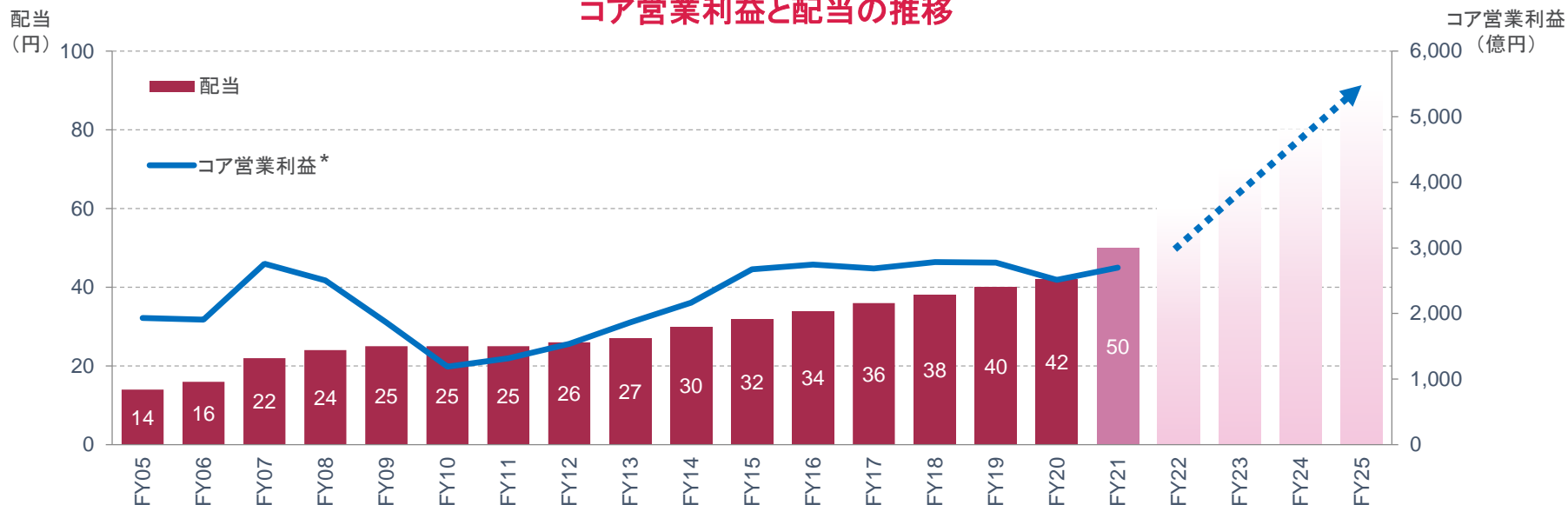
① 成長を実現するための  
事業投資を最優先

② 利益・資金計画および実績に  
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の期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



# 成長の基盤となる開発パイプライン

33

## 第Ⅰ相

エンホルツマブ ベドチン  
(NMIBC)

ASP1948

ASP1951

ASP9801

ASP7517  
(固形がん)

ASP0739

ASP7317

bocidelpar / ASP0367  
(デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

AT845

ASP0598

ASP2390

ASP1570

ASP8062  
(アルコール使用障害)

## 第Ⅱ相

エンホルツマブ ベドチン  
(その他の種類の固形がん)

ゾルベツキシマブ  
(隣臓腺がん)

ロキサデュスタット  
(化学療法に伴う貧血)

resamirigene bilparvovec  
/ AT132 (XLMTM)

ASP7517  
(AMLおよびMDS)

ASP1128  
(急性腎障害)

bocidelpar / ASP0367  
(原発性ミトコンドリアミオパチー)

ASP3772  
(肺炎球菌感染症の予防)

FX-322  
(感音難聴)

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)

fezolinetant  
(閉経に伴う血管運動神経症状)

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)

■ XTANDIおよび重点戦略製品  
(ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132)

■ Focus Areaアプローチ

■ その他

詳細は「新薬開発状況」を参照

これらの化合物は開発中であり、まだ安全性と有効性確立していない。規制当局から承認を取得したり、開発中に市販されるという保証はない 

NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん、XLMTM: X連鎖性ミオチューブラーミオパチー、AML: 急性骨髄性白血病、MDS: 骨髄異形成症候群、M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、mUC: 転移性尿路上皮がん、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん

# 開発の進展

臨床入りから承認まで：前回の決算発表以降の進捗

34

第 I 相入り

第 II 相入り

第 III 相入り

申請

承認

## ASP7517

急性骨髄性白血病および  
骨髄異形成症候群

## ロキサデュスタット

成人の慢性腎臓病に伴う  
症候性貧血：  
欧州

## エンホルツマブ ベドチン

がん化学療法後に増悪した  
根治切除不能な尿路上皮癌：  
日本

開発中止

ASP1617：全身性エリテマトーデス（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：社内で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：社内での意思決定機関における決定

# XTANDIおよび重点戦略製品：最新状況

(下線：前回の決算発表以降の進捗)

	適応症	現況
エンザルタミド/ XTANDI	M1 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> <li>グローバル：第Ⅲ相ARCHES試験の良好なOSデータを2021年9月にESMOで発表</li> <li>中国：第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)</li> </ul>
	M0 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)</li> </ul>
ギルテリチニブ/ ゾスパタ	再発または難治性 AML	<ul style="list-style-type: none"> <li>中国：第Ⅲ相試験において有効性の観点で早期に症例組み入れを終了</li> </ul>
	AML(造血幹細胞移植後の維持療法)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)</li> </ul>
	未治療AML(強力な化学療法適応)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中</li> </ul>
	AML(化学療法後の維持療法)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相GOSSAMER試験トップライン結果を2021年8月に入手</li> </ul>
エンホルツマブ ベドテン/ パドセブ	転移性尿路上皮がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>治療歴あり：2021年9月に日本で承認取得。2021年3月に欧州で申請</li> <li>治療歴なし(一次治療)：第Ⅲ相試験進行中</li> <li>中国：第Ⅱ相ブリッジング試験のFSFTを2021年8月に達成</li> </ul>
	筋層浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中</li> </ul>
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅰ相試験を2021年10-12月に開始予定</li> </ul>
	他の種類の固形がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験進行中</li> </ul>
ゾルベツキシマブ	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中</li> </ul>
	膵臓腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験進行中(試験規模拡大のためプロトコル改訂)</li> </ul>
ロキサデュスタット/ エベレンゾ	慢性腎臓病に伴う貧血	<ul style="list-style-type: none"> <li>欧州：2021年8月に承認取得</li> </ul>
	化学療法に伴う貧血	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験トップライン結果を2021年8月に入手</li> </ul>
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国・欧州：第Ⅲ相ピボタル試験52週データを、2021年7月(SKYLIGHT 2)および2021年10月(SKYLIGHT 1)に入手。SKYLIGHT 2試験の12週データを、2021年9月にNAMSで発表。第Ⅲ相長期安全性試験(SKYLIGHT 4)進行中(症例組み入れ終了)。HRT不適応の患者対象の第Ⅲ相DAYLIGHT試験を2021年10-12月に開始予定</li> <li>アジア：第Ⅲ相試験進行中(ピボタルおよび長期安全性試験で症例組み入れ終了)</li> <li>日本：後期第Ⅱ相試験を2021年10-12月に開始予定</li> </ul>
AT132 (resamirigene bilparvovec)	X連鎖性ミオチューブラーミオパチー	<ul style="list-style-type: none"> <li>重篤な有害事象により、2021年9月にFDAの指示により臨床試験(ASPIRO試験)を差し止め(clinical hold)</li> </ul>

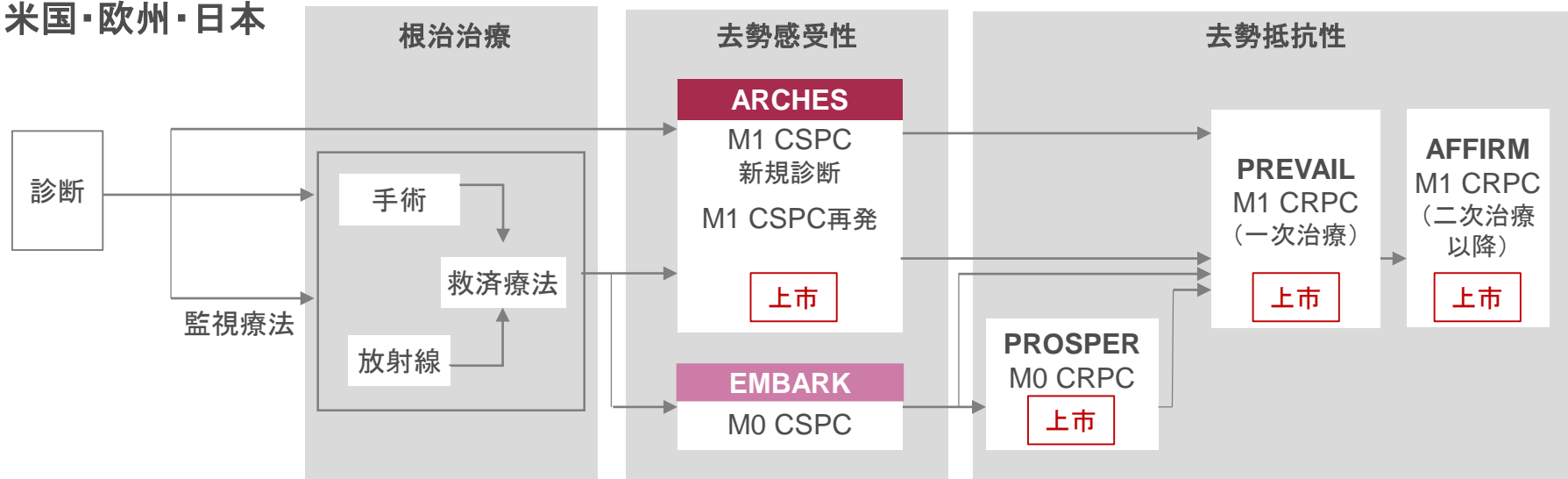
重点戦略製品：ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

M1：転移性、M0：非転移性、CSPC：去勢感受性前立腺がん、OS：全生存期間、ESMO：欧州臨床腫瘍学会、AML：急性骨髄性白血病、

FSFT：最初の症例への投与、NAMS：北米閉経学会、FDA：米国食品医薬品局

# 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、 2021年4月に欧州で承認取得。 2021年9月に良好なOSデータをESMOで発表
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

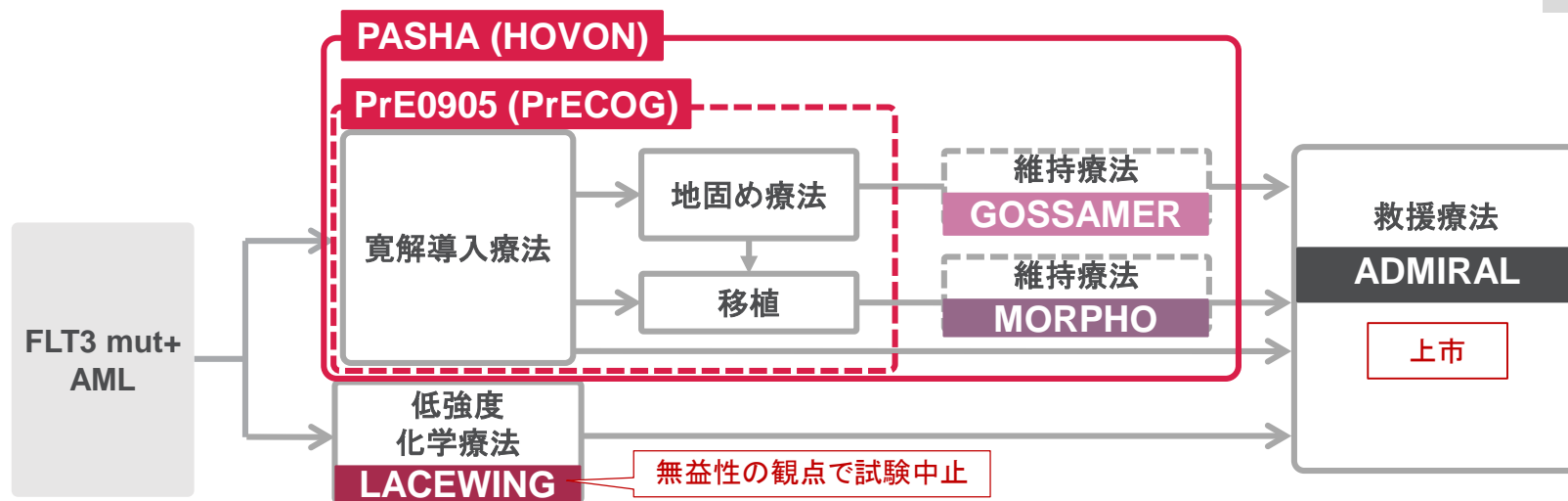
中国 ・ M1 CSPC: 第Ⅲ相China-ARCHES試験の症例組み入れ終了



下線: 前回の決算発表以降の進捗

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、OS: 全生存期間、ESMO: 欧州臨床腫瘍学会

# 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	2021年8月にトップライン結果を入手

**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



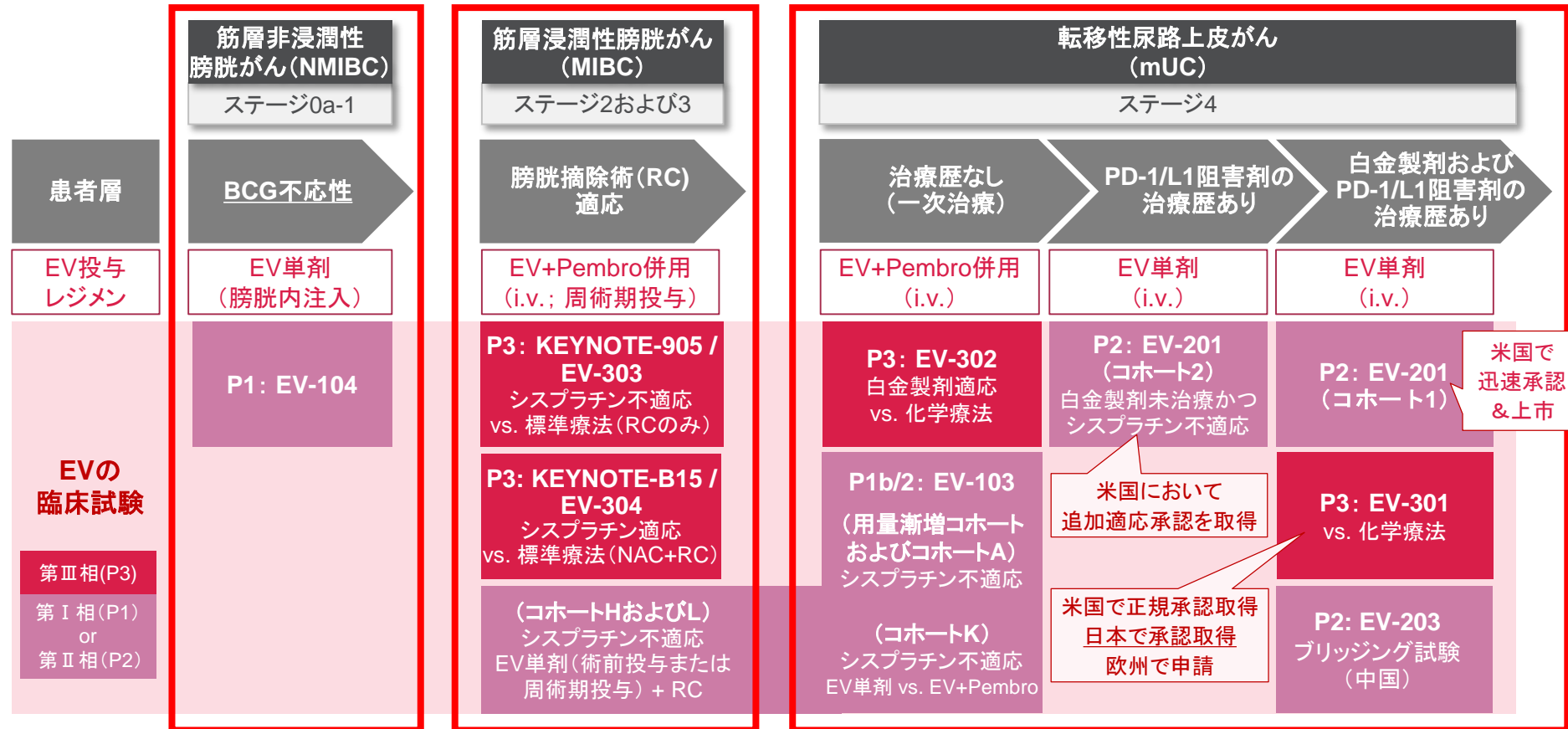
下線: 前回の決算発表以降の進捗

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) 尿路上皮がんの開発プログラム

早期 ← - 尿路上皮がんの病期 - → 後期



米国で迅速承認&上市



# エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/3): 臨床試験

## 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	2021年7月に米国で正規承認取得。 2021年9月に日本で承認取得。2021年3月に欧州で申請
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	FSFT: 2021年5月
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: 2021年7月に米国で追加適応承認取得
第Ⅰ b/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: 2021年10月に症例組み入れ完了 コホートL: 症例組み入れ中 EVとPembro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、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
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	FSFT: 2021年8月
第Ⅰ相: EV-104	BCG不応性の高リスクNMIBC; EV単剤を膀胱内注入	n=58	2021年10-12月開始予定

## 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がん、非扁平上皮非小細胞肺がん、 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: 前回の決算発表以降の進捗

mUC: 転移性尿路上皮がん、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、BCG: カルメット・ゲラン桿菌、NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん

# エンホルツマブ ベドチン(EV) (3/3): 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	784 (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 51% ** (CR 22% **)	✓ ORR 44% (CR 12%)	✓ OS HR 0.70 *	
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (26.1カ月 **)	✓ (14.7カ月)	✓ (12.4カ月**)	✓ HR 0.70 * (12.9カ月 vs.9カ月)	
無増悪生存 期間(PFS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (12.3カ月 **)	✓ (5.8カ月)	✓ (5.8カ月)	✓ HR 0.62 * (5.6カ月 vs.3.7カ月)	
客観的奏効率 (ORR)	(試験進行中)	(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)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 25.6カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.39カ月 vs. 8.11カ月 *	

✓: 結果入手済、\*: 事前に設定した中間解析、\*\*: 最新結果





# 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：Claudin 18.2

- 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33-37%で、Claudin 18.2の高発現が認められる
  - ✓ 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：  
HER2陰性・Claudin 18.2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
- 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、二重盲検、vs. プラセボ	n=550	FSFT：2018年10月
	第Ⅲ相：GLOW	一次治療、CAPOXとの併用、二重盲検、vs. プラセボ	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 コホート4：一次治療、mFOLFOX6およびニボルマブとの併用	n=116	FSFT：2018年9月
膵臓腺がん	第Ⅱ相	一次治療、nab-パクリタキセルおよびゲムシタビンとの併用、非盲検	<u>n=369</u>	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可能性がある
- 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の使用は急激に低下し、重大な安全性の懸念がなくVMSに対して有効な製品への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、45 mg vs. プラセボ(1:1:1) 40週: 実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=527	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトプライン結果)。 2021年10月に52週データ入手
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2		n=501	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトプライン結果⇒2021年9月にNAMSで発表)。 2021年7月に52週データ入手
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、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=1,833	症例組み入れ終了
第Ⅲb相: DAYLIGHT	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有するHRT不適応の患者 24週: 二重盲検、45 mg vs. プラセボ(1:1)	n=440	2021年10-12月に開始予定

### 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=302	症例組み入れ終了
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	症例組み入れ終了

### 日本

後期第Ⅱ相(用量設定)	軽度から重度のVMSを有する閉経前後の患者 12週: 二重盲検、2用量 vs. プラセボ(1:1:1)	n=135	2021年10-12月に開始予定
-------------	--	-------	------------------

下線: 前回の決算発表以降の進捗

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. NAMS: North American Menopause Society(北米閉経学会)、FSFT: 最初の症例への投与

# AT132 (resamirigene bilparvovec): rAAV8-Des-hMTM1

43

## 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カ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

ASPIRO  
(XLMTM患者対象の  
申請用臨床試験)

n=26

最近投与された患者で重篤な有害事象が認められたため、2021年9月にFDAより臨床試験を差し止め(clinical hold)指示。有害事象に関する調査進行中



# 変化する医療の最先端へ

