

2022年度第2四半期決算概況



2022年10月31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。開発中の化合物に関する情報は、その化合物の確立された安全性や有効性を示唆するものではなく、開発中の化合物が承認を受けたり、開発中の用途で上市されることを保証するものでもありません。

本日の内容

I

2022年度第2四半期 連結業績
2022年度通期業績 修正予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

2022年度第2四半期業績の概要

売上収益は前同比較で17%増加、為替の影響を除くと期初予想に沿った進捗

- XTANDI: 米国は期初予想を下回る推移。欧州と日本が好調に推移しており、米国の下振れをカバー

- 重点戦略製品: 日本を中心に好調なパドセブは期初予想を上回る推移

- 売上原価率は製品や地域の構成割合の変化により期初予想を上回る

なお、昨今の急激な為替変動を勘案し、重要性の原則に基づき、2Qから未実現利益消去に使用する為替レートを変更し、損益影響を除外（詳細はスライド20、21を参照）

- 販管費は期初予想に沿ったコントロール

- 研究開発費は期初予想に沿った使用

営業利益

- コア営業利益は前同比較で16%増加、為替の影響を除いても増加。期初予想に沿った推移


- フルベースは前同比較で33%増加

2022年度第2四半期業績

(億円)	21年度2Q	22年度2Q	増減額	増減率	2022年度 期初予想	進捗率	為替の影響
売上収益	6,517	7,622	+1,105	+17.0%	14,430	52.8%	+843億円
売上原価	1,247	1,517	+269	+21.6%			+125億円(21年度2Qに残る未 実現利益消去の影響+6億円を 含む)
売上収益比率	19.1%	19.9%	+0.8 ppt				
販管費	2,705	3,080	+374	+13.8%	5,980	51.5%	+402億円
内、米国XTANDI共同販促費用	711	897	+186	+26.1%			
上記を除く販管費	1,994	2,183	+189	+9.5%	4,160	52.5%	+240億円
研究開発費	1,191	1,392	+201	+16.9%	2,540	54.8%	+151億円
無形資産償却費	124	200	+76	+61.3%			
無形資産譲渡益	-	2	+2	-			
コア営業利益	1,253	1,454	+201	+16.0%	2,900	50.1%	+160億円
<フルベース>							
その他の収益	28	162	+134	+470.7%			(その他の収益) 為替差益:139億円
その他の費用	380	417	+38	+9.9%			(その他の費用):1Qに計上 AT702、AT751、AT753関連 減損損失:228億円 fezolinetant条件付対価公正 価値増加:137億円
営業利益	902	1,199	+297	+33.0%	2,690	44.6%	
税引前利益	891	1,205	+314	+35.2%	2,670	45.1%	
四半期利益	716	964	+248	+34.7%	2,080	46.4%	

2022年度第2四半期業績と今後の見通し: XTANDI

米国の厳しい市場環境を織り込むものの、グローバルでは引き続き成長を見込む

	22年度2Q実績	前同比	期初予想	進捗率	修正予想	
 Xtandi® (enzalutamide)	3,320億円	+644(+24%) 〔為替の影響を除く〕 +228(+9%)	6,425	52% 〔為替の影響を除く〕 48%	6,700 〔為替の影響〕 +558億円	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 米国は期初予想を下回るが、欧州や日本がカバーし、2Qまでは期初予想に沿った推移 ✓ 米国の厳しい市場環境を3Q以降も継続して見込む。為替を除くと通期予想は下方修正するも、グローバルでは二桁近い成長を見込む
米国 (\$ベース)	\$1,304M	+19(+1%)	\$2,949M	44%	\$2,618M	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 現適応症では成熟市場のフェーズへ <ul style="list-style-type: none"> • PAPと競合後発品が引き続き想定よりも高い水準 • 新規患者数はCOVID-19以前の水準には戻っておらず、想定を下回る ✓ 上記要因の改善は見込めず、通期予想を下方修正(-\$331M) ✓ 今後の成長ドライバーはM0 CSPCの追加適応、承認取得後の貢献に期待
エスタブリッシュド マーケット (€ベース)	€715M	+74(+12%)	€1,349M	53%	€1,429M	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 特にM1 CSPCの処方伸長し、物量が大きく拡大(物量前同比+21%) ✓ 1Qにドイツで期初予想の前提よりも高い価格で合意できたことも貢献し、通期予想を上方修正(+€80M)
日本	275億円	+39(+17%)	526	52%	554	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 高いマーケットシェアを維持。NHT市場が想定以上に拡大し、伸長に貢献 ✓ NHT市場拡大の状況を反映し、通期予想を上方修正(+28億円)
グレーターチャイナ	60億円	+24(+66%)	133	45%	123	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 物量は大きく拡大しているものの(物量前同比+34%)、競合環境が激化 ✓ 3Q以降も競合の影響を見込み、通期予想を下方修正
インターナショナル マーケット	244億円	+90(+59%)	406	60%	443	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 引き続き成長市場。出荷の前倒しの影響により、2Qまでは上振れて推移 ✓ 為替を除くと通期では期初予想通りの着地を見込む




期初予想の為替レート: 1ドル120円、1ユーロ135円 修正予想の為替レート: 1ドル137円、1ユーロ139円 (3Q以降の想定: 1ドル140円、1ユーロ140円)

PAP: Patient Assistance Program(患者アクセスプログラム)、M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、NHT: Novel Hormonal Therapy

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、輸出上等

2022年度第2四半期業績と今後の見通し：重点戦略製品

好調なパドセブは日本を中心に期初予想を上回る成長、通期予想を上方修正

	22年度2Q実績	前同比	期初予想	進捗率	修正予想	
 PADCEV enfortumab vedotin <small>Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials</small>	208億円	+117(+128%) 〔為替の影響を除く〕 +89(+98%)	365	57% 〔為替の影響を除く〕 53%	454 〔為替の影響〕 +41億円	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想を上回る成長 ✓ 承認国数は41カ国まで拡大（2Q時点） ✓ 主に好調な日本の状況を反映し、通期予想を上方修正
米国（\$ベース）	\$105M	+22(+27%)	\$230M	46%	\$230M	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 期初予想に沿った推移、通期予想は据え置き ✓ 本格的な売上拡大はmUC一次治療の追加適応の承認取得後を見込む
エスタブリッシュドマーケット（€ベース）	€19M	+19(-)	€34M	56%	€40M	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 22年4月の承認以降、発売国が拡大し、今後保険償還の獲得を見込む ✓ 市場浸透が期初の想定を上回り、通期予想を上方修正（+€6M）
日本	40億円	+40(-)	43	93%	83	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 1Qから引き続き、期初の想定を大きく上回る市場浸透 ✓ 通期予想を大幅に上方修正（+40億円）
 XOSPATA gilteritinib 40mg tablets	235億円	+70(+43%) 〔+39(+24%)〕	462	51% 〔47%〕	458 〔+39億円〕	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想を下回る推移。最大市場の米国で高いマーケットシェアを維持するも、市場の成長が想定を下回る ✓ 米国の市場鈍化や日本の競合激化を反映し、通期予想を下方修正
 Evrenzo roxadustat	15億円	+1(+9%)	99	15%	50	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本、欧州ともに期初予想を下回る推移。引き続き、日本では競合激化の影響、欧州では既存の標準治療薬との差別化が図れていない ✓ フランス、イタリア、スペインでの発売・保険償還を22年度後半に見込むも、2Qまでの厳しい状況を反映し、通期予想を大幅に下方修正

期初予想の為替レート：1ドル120円、1ユーロ135円 修正予想の為替レート：1ドル137円、1ユーロ139円（3Q以降の想定：1ドル140円、1ユーロ140円）
 mUC：転移性尿路上皮がん、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

2022年度第2四半期業績：費用項目

売上原価率は前同比較で増加、期初予想を上回る
 販管費は為替の影響を除くと期初予想に沿って進捗し、前同比較で減少
 研究開発費は為替の影響を除くと期初予想に沿って使用

コアベース：主要な費用項目の前同比較と対予想

売上原価率

前同比：0.8 ppt上昇

- ✓ 製品や地域の構成割合の変化による増加(主に米国以外のXTANDI、イベニティ)(+0.9 ppt)
- ✓ 上記の要因により売上原価率は期初予想を上回る

販管費

米国XTANDI共同販促費用を除く
 前同比：9.5%増加(2.6%減少)
 期初予想進捗率：53%(50%)

- ✓ 製品ポートフォリオの変化に伴うグローバルでのコマーシャル要員の最適化(前同比：約-60億円)
- ✓ 成熟製品の費用削減(同：約-40億円)
- ✓ 新製品の立ち上げ・発売準備費用の増加(同：約+40億円)
- ✓ 競争力・価値向上に寄与しないコストの徹底的な見直しを進め、必要な投資は積極的に行った結果、期初予想に沿った使用

研究開発費

前同比：16.9%増加(4.2%増加)
 期初予想進捗率：55%(52%)

- ✓ 1Qにfezolinetantの申請時のPRVの使用に伴う一時費用を計上
- ✓ 上記費用を含めて期初予想に沿った使用

() 内は為替の影響を除く前同比・期初予想進捗率

2022年度通期業績 修正予想の概要

● 売上収益: 上方修正

- ▶ XTANDI: 米国の厳しい市場環境を3Q以降も継続して見込み下方修正、欧州と日本は上方修正
- ▶ ポジティブな為替の影響を反映

● コア営業利益: 期初予想を据え置き

(億円)	2022年度 期初予想	2022年度 修正予想	差異
売上収益	14,340	15,290	+860
販管費	5,980	6,420	+440
内、米国XTANDI共同販促費用	1,820	1,860	+40
上記を除く販管費	4,160	4,560	+400
研究開発費	2,540	2,780	+240
コア営業利益 (対売上収益比率)	2,900 (20.1%)	2,900 (19.0%)	-
<フルベース>			
営業利益	2,690	2,690	-

通期業績修正予想の為替レート:
1ドル137円、1ユーロ139円
(3Q以降の想定: 1ドル140円、1ユーロ140円)

為替の影響: +1,155
XTANDI: 米国-397、米国以外: +128、
パドセブ: +46、ゾスパタ: -44、エベレンゾ: -50

為替の影響、米国XTANDI共同販促費用
の減少

為替の影響
ゾルベツキシマブの商用在庫の増産: 約+60

為替の影響: +215
(コア営業利益率の悪化要因: 売上原価率の上昇、研究開発費の一時的な増加)

本日の内容

10

I

2022年度第2四半期 連結業績
2022年度通期業績 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：2022年度に期待される主なイベント



2022年10月時点

<その他のアップデート>

- エンザルタミド (M0 CSPC)：2022年8月にFDAからファストトラック指定取得
- ゾルベツキシマブ (胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん)：2022年9月にFDAからファストトラック指定取得



1. TLRの時期はイベント発生に依存するため変動の可能性あり

TLR: トップライン結果、M0 CSPC: 非転移性去勢感受性前立腺がん、1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、PDUFA: Prescription Drug User Fee Act、FDA: 米国食品医薬品局

fezolinetant: 米国・欧州の成功要因(Key Success Factor)と最新状況

12

開発が順調に進展、地域によって異なるKey Success Factorに対するアプローチが重要

米国

対象患者数¹: 1,000万人

Key Success Factor²

- 患者から新規非ホルモン製剤を医師にリクエスト
- 医師が新規非ホルモン製剤の特性を理解し、患者に推奨
- 民間保険のカバレッジを確保

開発上の進展

- 新薬承認申請受理(2022年8月)
- 審査終了目標日(PDUFA date): 2023年2月22日

欧州³

対象患者数¹: 1,300万人

Key Success Factor²

- 患者がVMSを治療可能な疾患と認識し、医師に積極的に相談
- 医師が新規非ホルモン製剤の特性を理解し、患者に処方
- 製品価値が反映された価格で保険償還を獲得

開発上の進展

- 販売承認申請受理(2022年9月)
- 第Ⅲb相DAYLIGHT試験の症例組み入れ早期完了(2022年10月)

共通のKey Success Factor: VMSの負担、新規非ホルモン製剤としての作用機序に対する理解促進



Focus Areaアプローチの進展(1/4): 臨床試験段階プロジェクトの現況

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

Primary Focus	バイオロジー / モダリティ / テクノロジー ¹	プロジェクト	現況	FY25末までにPoC見極め時期を迎える予定のPJ数 ²
遺伝子治療	遺伝子置換 (AAV)	AT132	● 2021年9月にFDAから臨床試験差し止め (clinical hold) 指示	4
		AT845	● 2022年6月にFDAから臨床試験差し止め (clinical hold) 指示	
がん免疫	遺伝子調節 (AAV)		●	12
	チェックポイント	ASP1570	● 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 相試験進行中 進行性固形がん対象第 I 相試験進行中	
		ASP0739	● 第 I 相試験進行中	
	腫瘍溶解性ウイルス (腫瘍内投与)	ASP9801	● 第 I 相試験進行中	
			●	
	二重特異性免疫細胞誘導	ASP2138	● 第 I 相試験進行中	
		ASP2074	● 第 I 相試験を2023年1-3月に開始予定	
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317	● 第 I b相試験における症例スクリーニングを2022年8月に再開	3
	細胞補充 (UDC)		●	
	遺伝子調節 (AAV)		●	
ミトコンドリア	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP0367	● PMM患者対象第 II/III相試験進行中 DMD患者対象第 I b相試験における症例スクリーニングを中止	4
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731	● 第 I 相試験進行中。2022年9月にFDAからオーファンドラッグ指定を取得	
	ミトコンドリア・トランスファー		●	
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	● 第 I 相試験進行中	1
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		●	-
合計				24

モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞
- その他



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 (2022年10月時点)

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、FDA: 米国食品医薬品局、AML: 急性骨髄性白血病、MDS: 骨髄異形成症候群、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

Focus Areaアプローチの進展(2/4): 新規Primary Focus「標的タンパク質分解誘導」(1)

Primary Focus「標的タンパク質分解誘導(TPD)」

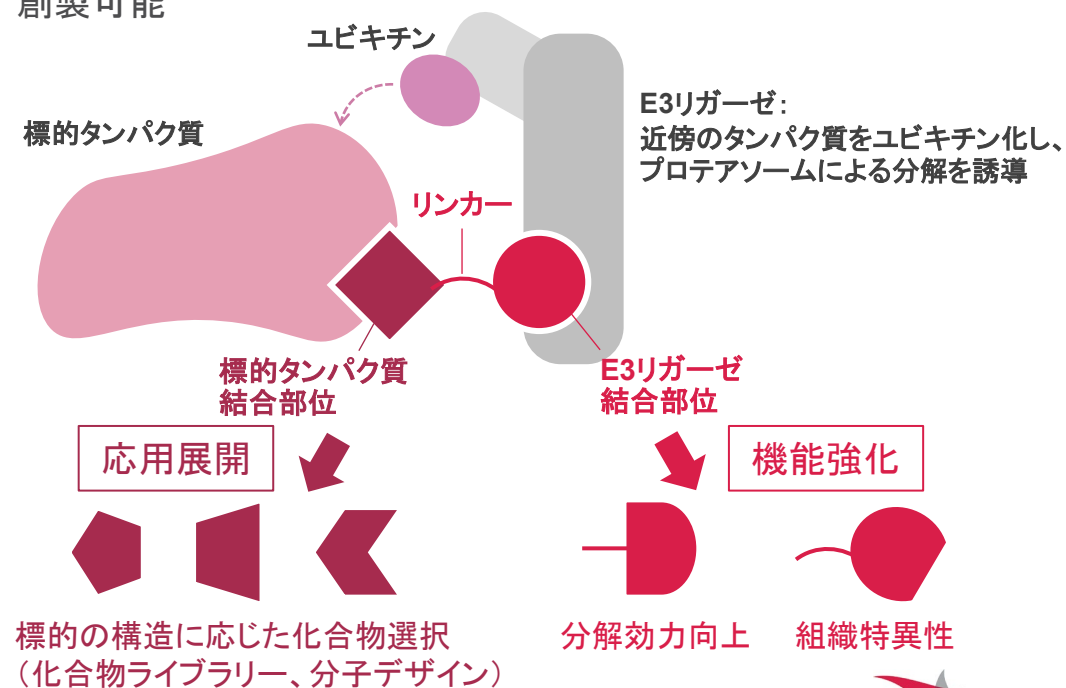
- Undruggable標的へのアプローチとして、生体に内在するタンパク質分解機構(ユビキチン-プロテアソーム系)を利用
- 標的タンパク質への結合と分解誘導に必要な2種類の分子およびリンカーから構成される新規モダリティ(右図参照)
- 標的タンパク質分解誘導剤を創製するための一連の技術プラットフォームを確立済
- リードプログラムASP3082(KRAS G12D分解誘導剤)を創出、臨床試験段階に進展。複数の後続プログラムを創出中
- Primary Focusとして、がん領域、さらに非がん領域において継続的にプログラムを創出すべく積極的に経営資源を投資していく方針

技術の利点

- アステラスにおいて、細胞内undruggable標的にアプローチする上で最も有望なモダリティ/技術としての位置付け
 - **幅広い標的に応用可能:**
強固な結合に基づく阻害作用ではなく、触媒として分解を促進
⇒従来と比較して低い結合親和性でも機能発揮が可能
(結合部位に対する制限が少ない)
 - **低分子の特長・優位性を保持:**
全身投与可能(経口含む)、確立された製法および薬事規制等

技術の応用性・拡張性

- 標的タンパク質結合部位の変換により様々な標的に応用可能。酵素活性のない標的分子(転写因子、足場タンパク質等)も対象に
- E3リガーゼ結合部位・リンカーも含めた最適化により、標的分子選択性に加えて、分解効力や組織特異性などの機能を高めた化合物を創製可能



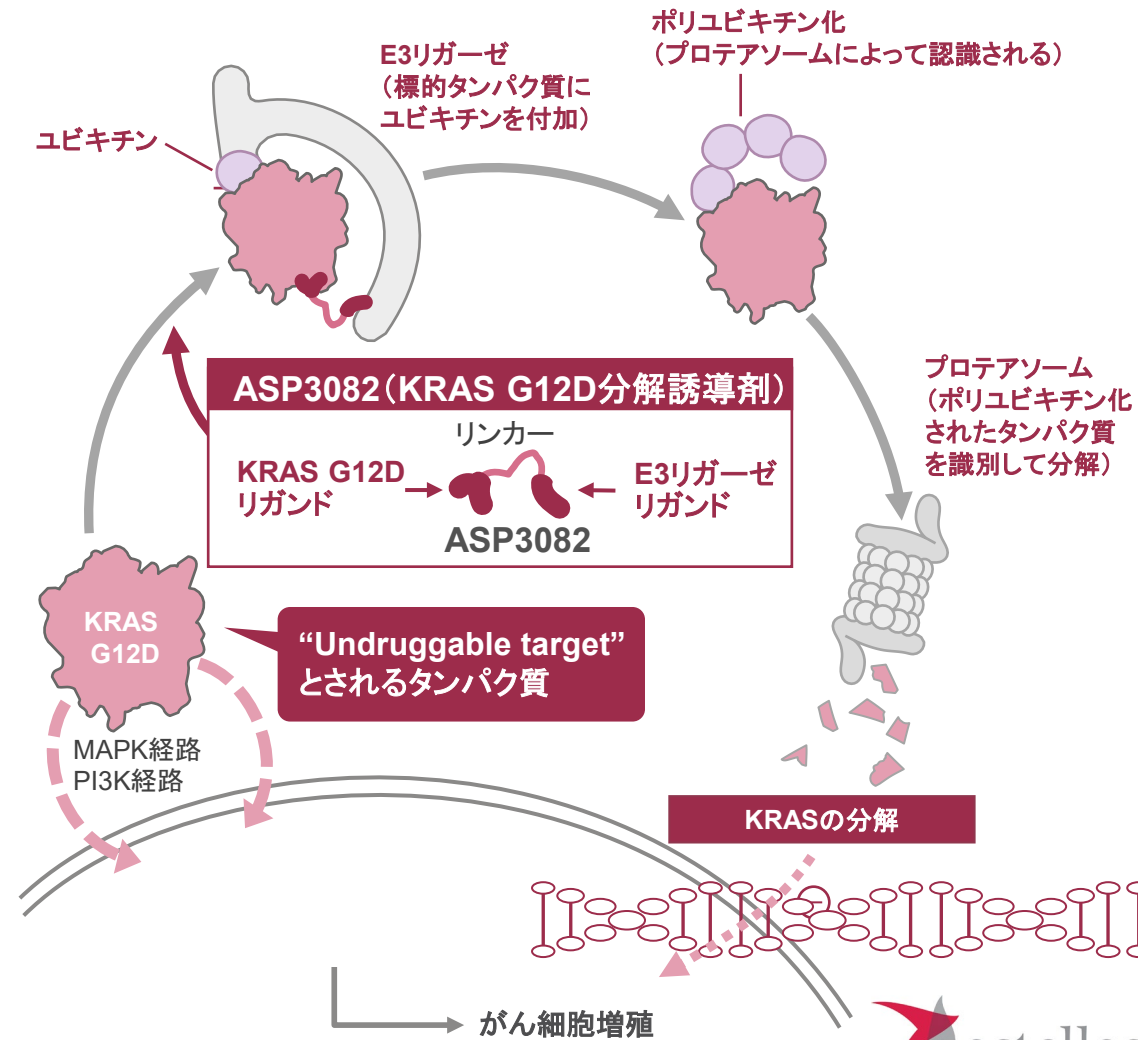
Focus Areaアプローチの進展(3/4): 新規Primary Focus「標的タンパク質分解誘導」(2)

リードプログラム ASP3082

- KRAS変異はがん発症に関与することが広く知られているが、化合物の結合部位に乏しく、阻害剤の開発が難しい undruggable 標的とされてきた
- KRAS変異には多くの種類が存在する
 - G12D変異体が最も高頻度で発生:
米国では年間51,000件以上の新規がん症例で発生¹
 - G12C変異体に対しては、反応性の高いシステイン残基に共有結合する阻害剤が開発されている
 - G12D変異体に対して強固に結合する化合物の創製は困難



- ASP3082は標的タンパク質分解誘導のアプローチにより KRAS G12D変異体の機能を阻害する



1. Cancer Discov 12:924 (2022)
KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、MAPK: Mitogen-activated protein kinase、PI3K: Phosphatidylinositol-3 kinase



Focus Areaアプローチの進展(4/4): Taysha Gene Therapies社との戦略的提携

遺伝子治療のパイプライン拡充に向けて、Taysha Gene Therapies社と戦略的提携

提携の概要

- 総額5,000万米ドルで以下を取得
 - Taysha社の発行済普通株式15%
 - Taysha社の取締役会へのオブザーバー参加
 - 2つのプログラム(TSHA-102、TSHA-120)の独占的ライセンスに関する独占的オプション権
 - Taysha社の経営権の変更に関連する特定の権利

戦略的意義

- Taysha社の強み
 - 中枢神経系疾患に対する遺伝子治療プログラムを複数保有
 - 臨床での使用実績が確立されているAAV9を使用
 - 髄腔内投与で高い全身暴露を回避
- 中枢神経系の遺伝性疾患におけるパイプライン拡充
- ノースカロライナ州サンフォードに新設した製造施設を活用可能

TSHA-102

- 対象疾患:レット症候群
 - 主に女性で発生する重度の遺伝性神経発達障害
 - 推定発生率:新生女児1万人に1人
- 作用機序:MECP2遺伝子の置換
- 開発段階:第I/II相
 - 成人試験の初期データを2023年前半に入手予定
- オプション権行使時期:成人試験初期データ入手後に開始する小児臨床試験の初期データ受領後

TSHA-120

- 対象疾患:巨大軸索性ニューロパチー
 - 非常にまれな進行性神経変性疾患
- 作用機序:gigaxonin遺伝子の置換
- 開発段階:第II相終了
 - 運動機能改善、安全性などで良好なデータを入手
- オプション権行使時期:
FDA Type B meeting議事録受領後(2023年1月予定)

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

- ✓ XTANDI: 売上は米国で期初予想を下回るが、欧州と日本がカバー
- ✓ パドセブ: 売上はグローバルで期初予想を上回る成長。1L mUC米国申請提出
- ✓ fezolinetant: 米国・欧州で承認申請受理

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

- ✓ ASP2074: 臨床入り
- ✓ ASP7317: 第 I b相試験再開
- ✓ Primary Focus「標的タンパク質分解誘導」新設
- ✓ 遺伝子治療:
Taysha社との戦略的提携

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

✓ 販管費: 為替の影響を除くと期初予想に沿ってコントロール、前同比較で減少

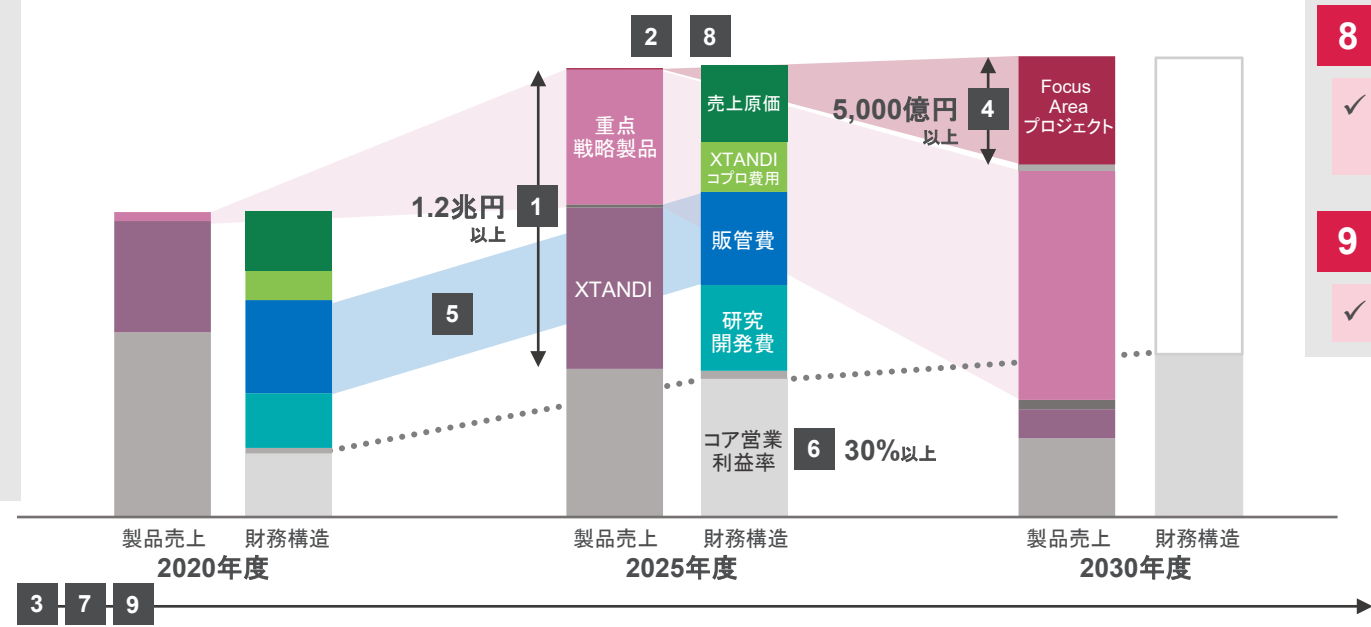
将来成長

8 Rx+: 2025年度までにBreakeven

- ✓ ASP5354: 追加適応の第 II 相試験開始

9 サステナビリティ

- ✓ 統合報告書2022公開



重点戦略製品: パドセブ、ゾスパタ、ゾルベツキシマブ、エブレソ、fezolinetant、AT132
 1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、TLR: トップライン結果、VMS: 血管運動神経症状




R&Dミーティング

➤ 12月9日(金) 10:00-11:30

サステナビリティ ミーティング

➤ 2月17日(金) 14:00-15:30

參考資料



棚卸資産の未実現利益消去に使用する為替レートの変更

- 昨今の急激な為替変動を勘案し、業績に与える影響は軽微ではなくなったと判断し、重要性の原則に基づき連結決算処理を変更する
- 2022年度第2四半期決算から在外グループ会社が保有する棚卸資産の未実現利益消去に使用する為替レートを変更（下表の下線が変更箇所）
- 当該変更は、会計方針の変更に該当しないため、過去の連結財務諸表の修正再表示は行わない

	2022年度第1四半期決算まで	2022年度第2四半期決算以降
棚卸資産 (財政状態計算書項目)	期末日レート	期末日レート
売上原価 (損益計算書項目)	期末日レート	<u>期中平均レート</u>
【参考】在外グループ会社の収益および費用 (損益計算書項目)	期中平均レート	<u>期中平均レート</u>

- これに伴い、従来は、期末日レートと期中平均レートとの差によって生じる為替換算差額は、連結純損益計算書の売上原価で認識していたが、今後はその他の包括利益を通じて直接資本で認識

棚卸資産の未実現利益消去に使用する為替レートの変更(補正值)

- 売上原価を変更後の為替レート(期中平均レート)で算出した際の補正值は下表(赤いフォント)のとおり

(億円)	会計期間						累計期間		
	21年度1Q	21年度2Q	21年度3Q	21年度4Q	22年度1Q	22年度2Q	21年度2Q	22年度2Q	前同比
売上収益	3,261	3,255	3,406	3,039	3,818	3,804	6,517	7,622	+17.0%
売上原価	610	632	666	545	761	755	1,242	1,517	+22.1%
売上収益比率	18.7%	19.4%	19.6%	17.9%	19.9%	19.9%	19.1%	19.9%	+0.8ppt
販管費	1,371	1,334	1,359	1,424	1,534	1,546	2,705	3,080	+13.8%
内、米国XTANDI共同販促費用	345	366	376	306	431	465	711	897	+26.1%
上記を除く販管費	1,026	968	983	1,118	1,103	1,080	1,994	2,183	+9.5%
研究開発費	583	607	586	684	740	652	1,191	1,392	+16.9%
無形資産償却費	60	64	79	80	107	92	124	200	+61.3%
無形資産譲渡益	-	-	241	1	2	0	-	2	-
コア営業利益	641	618	975	292	681	773	1,258	1,454	+15.5%
(参考) コア営業利益への影響額*1	+12	-7	+28	+45	+128*2	-128	+6	-	-

*1: 当変更を適用した場合におけるコア営業利益への影響額、*2: 2022年度第1四半期決算発表にて133億円と開示した未実現利益消去の影響額は、精査した結果128億円となります

2022年度第2四半期業績：地域別売上収益

(億円)	21年度 2Q	22年度 2Q	増減率
日本	1,305	1,333	+2.1%
米国	2,701	3,283	+21.5%
エスタブリッシュドマーケット	1,574	1,801	+14.5%
グレーターチャイナ	331	450	+36.2%
インターナショナルマーケット	553	633	+14.5%

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

2022年度第2四半期業績：主要製品の売上

(億円)	21年度 2Q	22年度 2Q	増減率	為替の影響を 除いた増減率	2022年度 期初予想
XTANDI	2,676	3,320	+24.1%	+8.5%	6,425
パドセブ	91	208	+127.8%	+98.1%	365
ゾスパタ	165	235	+42.5%	+23.6%	462
エベレンゾ	14	15	+8.7%	+7.7%	99
ミラベグロン	844	934	+10.7%	-2.6%	1,787
プログラフ	923	1,004	+8.7%	-0.9%	1,907



米国のパドセブは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）

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	21年度2Q	22年度2Q	変動
ドル	110円	134円	24円安
ユーロ	131円	139円	8円安

期首 - 期末レートの変動

通貨	21年度2Q	22年度2Q
ドル	1円安	23円安
ユーロ	1円高	7円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 843億円の増加、コア営業利益: 160億円の増加

2022年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

為替レート的前提 (期中平均)	22年度期初予想	22年度修正予想
ドル	120円	137円
ユーロ	135円	139円

2022年度3Q以降の為替レートの想定：1ドル140円、1ユーロ140円

2022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円安	
	売上収益	コア営業利益
ドル	約31億円増加	約5億円増加
ユーロ	約14億円増加	約6億円増加

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)	22年3月末	22年9月末
総資産	23,324	25,837
現金及び現金同等物	3,160	3,611
親会社所有者帰属持分	14,603	16,495
親会社所有者帰属持分比率(%)	62.6%	63.8%

(億円)	21年度2Q	22年度2Q	21年度
営業CF	1,394	1,399	2,574
投資CF	-557	-347	-624
フリーCF	836	1,052	1,950
財務CF	-899	-814	-2,163
社債及び短期借入金の増減額	-400	-150	-300
自己株式取得	-7	-106	-507
配当金支払額	-389	-457	-852

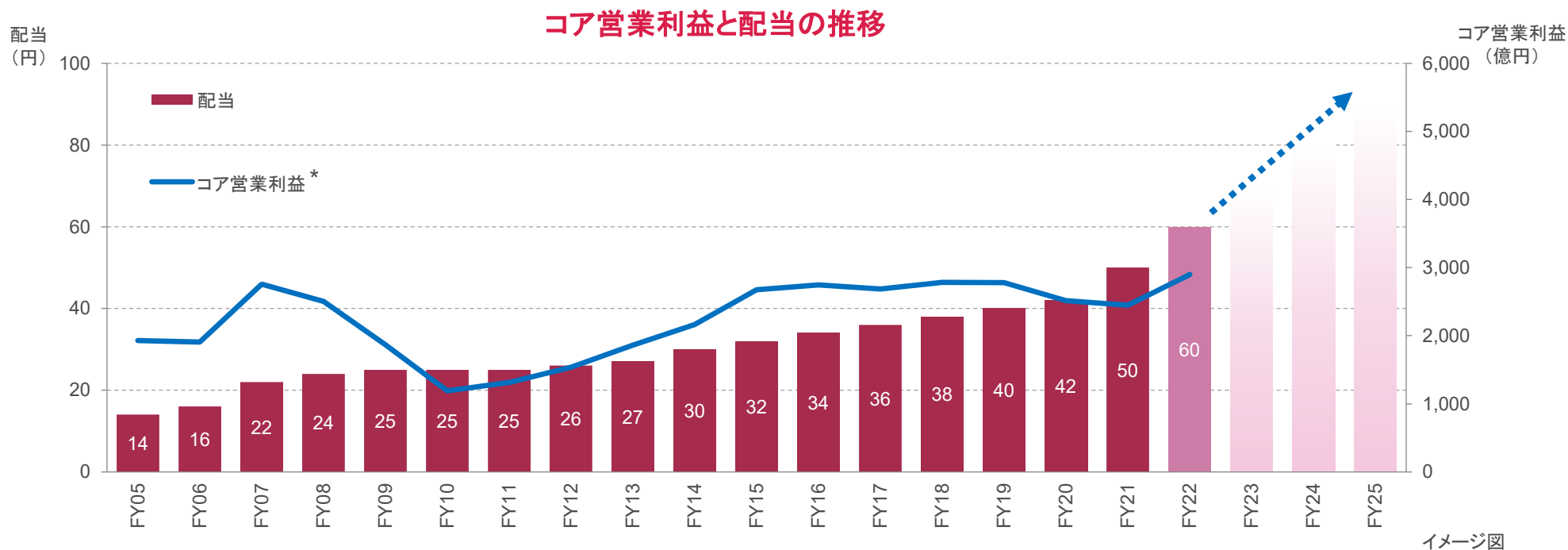
キャピタルアロケーション

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



* 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

第 I 相

■ エンホルツマブ ベドチン (NMIBC)
■ ギルテリチニブ (未治療AML、強力な化学療法不適合)
■ 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
■ ASP1570
■ ASP2138
■ ASP8731
■ ASP3082
■ ASP8062

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 (膵臓腺がん)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状: 日本)
■ resamirigene bilparvovec / AT132 (XLMTM)
■ ASP7517 (AMLおよびMDS)
■ bocidelpar / ASP0367 (原発性ミトコンドリアミオパチー)
■ FX-322 (感音難聴)
■ isavuconazole (小児: 米国)

第 III 相

■ エンザルタミド (M0 CSPC、M1 CSPC: 中国)
■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のないmUC、MIBC)
■ ギルテリチニブ (より早期ステージのAML、小児)
■ 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: 中国)
■ ミラベグロン (小児: 欧州)

申請

■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のないmUC、シスプラチン不適合: 米国)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状: 米国、欧州)
■ ペフィシチニブ (関節リウマチ: 中国)

- XTANDIおよび重点戦略製品
(パドセブ、ゾスパタ、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

NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん、AML: 急性骨髄性白血病、XLMTM: X連鎖性ミオチューブラーミオパチー、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

29



ASP2074
がん

エンホルツマブ ベドチン
治療歴のない局所進行性
または転移性尿路上皮がん
(シスプラチン不適応): 米国

fezolinetant
閉経に伴う中等度から重度の
血管運動神経症状: 欧州

ペフィシチニブ
関節リウマチ: 中国

開発中止

ロキサデュスタット: 化学療法に伴う貧血(第Ⅱ相)

注) 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

XTANDIおよび重点戦略製品：最新状況

(赤字：前回の決算発表以降の進捗)

プロジェクト / 製品	適応症	最新状況
エンザルタミド / XTANDI	M1 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> 米国: 添付文書へのOSデータ追加について2022年9月に承認取得 欧州: 添付文書へのOSデータ追加について2022年3月にCHMPが承認勧告を採択 中国: 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	M0 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ	転移性尿路上皮がん	<ul style="list-style-type: none"> 治療歴なし(一次治療): 第Ⅲ相試験進行中。EV-103試験コホートKの結果を2022年9月の欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で発表。追加適応の承認申請を2022年10月に米国で提出 中国: 第Ⅱ相ブリッジング試験のトップライン結果を2022年8月に入手
	筋層浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
	他の種類の固形がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中
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"> 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
	AML(造血幹細胞移植後の維持療法)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	未治療AML(強力な化学療法適応)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中
	未治療AML(強力な化学療法不適応)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験を2023年1-3月に開始予定
	AML(化学療法後の維持療法)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相GOSSAMER試験のトップライン結果を入手
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"> 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	膵臓腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中
ロキサデュスタット / エベレンゾ	化学療法に伴う貧血	<ul style="list-style-type: none"> アステラス権利範囲での開発を中止
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> 米国・欧州: 米国で新薬承認申請が2022年8月に受理。欧州で販売承認申請が2022年9月に受理。第Ⅲ相DAYLIGHT試験進行中(症例組み入れ終了)。第Ⅲ相SKYLIGHT 4試験の52週データを2022年10月の北米閉経学会(NAMS)で発表 アジア: 第Ⅲ相MOONLIGHT 1試験のLSLVを2022年4月に達成。第Ⅲ相MOONLIGHT 3試験のトップライン結果を2022年9月に入手 日本: 後期第Ⅱ相STARLIGHT試験進行中(症例組み入れ終了)
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"> 重篤な有害事象により、FDAの指示により臨床試験(ASPIRO試験)を差し止め(clinical hold)



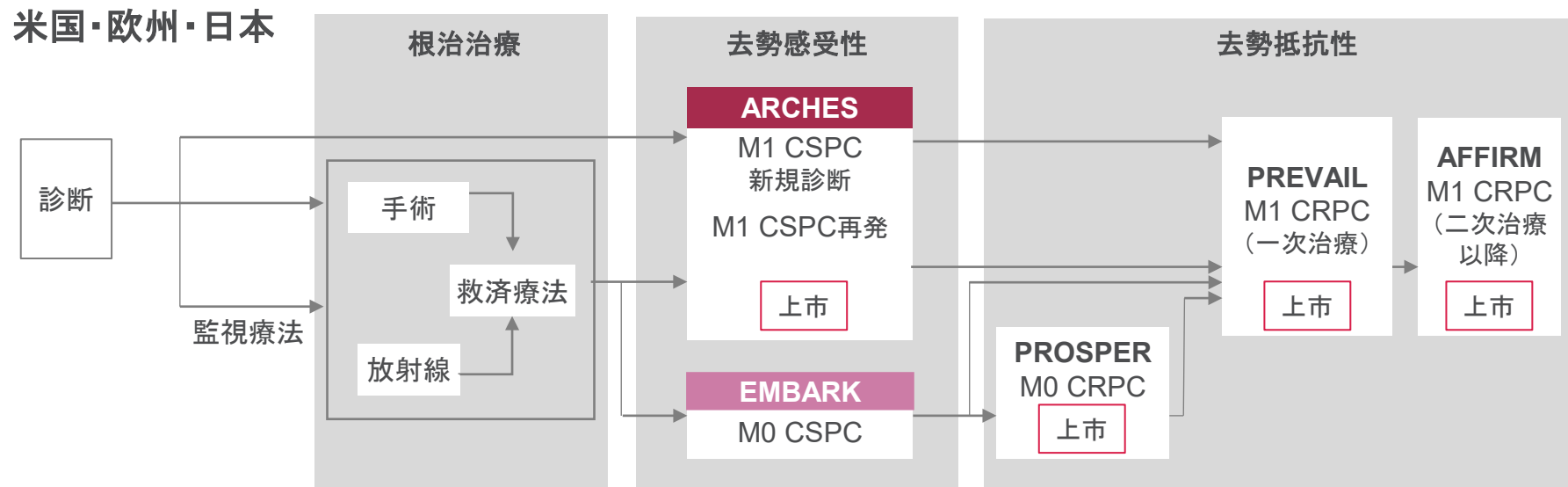
重点戦略製品: パドセブ、ゾスパタ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

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、CHMP: 欧州医薬品委員会、ESMO: European Society for Medical Oncology、AML: 急性骨髄性白血病、

NAMS: North American Menopause Society、LSLV: 最終症例における最終観察、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(1/2)

(赤字：前回の決算発表以降の進捗)



第Ⅲ相: ARCHES	NCT02677896	M1 CSPP	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12月に米国および欧州で添付文書へのOSデータ追加について申請。 2022年9月に米国で承認取得。 2022年3月にCHMPが承認勧告を採択
第Ⅲ相: EMBARK	NCT02319837	M0 CSPP	プラセボ対照、ADT併用	n=1,068	症例組み入れ終了



中国 ・ M1 CSPP: 第Ⅲ相China-ARCHES試験 ([NCT04076059](#)) の症例組み入れ終了



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

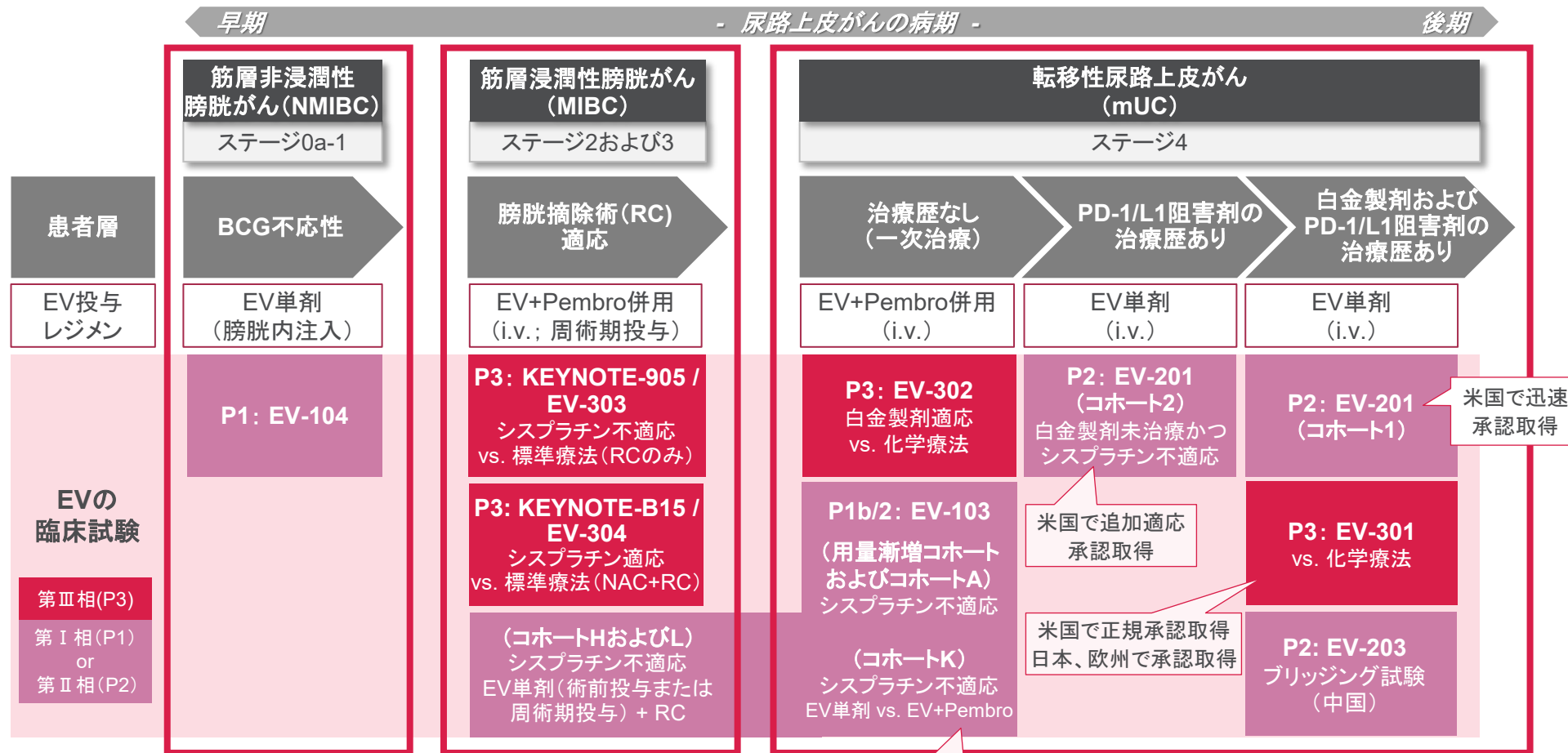
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

病期	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 0.17 ✓ 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カ月	✓ 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



エンホルツマブ ベドチン(EV)(1/4): ネクチン-4を標的とするADC 尿路上皮がんの開発プログラム



エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/4) : 臨床試験

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

尿路上皮がん

第Ⅲ相: EV-301	NCT03474107	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。2022年4月に欧州で承認取得
第Ⅲ相: EV-302	NCT04223856	治療歴がなく白金製剤適応のmUC; EV + Pembro vs. 化学療法	n=990	FSFT: 2020年4月
第Ⅲ相: EV-303 /KEYNOTE-905	NCT03924895	シスプラチン不適応のMIBC; Pembro +/- EV(周術期)+ RC vs. RCのみ	n=857	FSFT (EV + Pembro併用群): 2020年12月
第Ⅲ相: EV-304 /KEYNOTE-B15	NCT04700124	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	NCT03219333	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) コホート2: 2021年7月に米国で追加適応承認取得
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	NCT03288545	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	コホートおよび他コホート: 2022年10月に米国で追加適応の承認申請を提出 コホートL: 症例組み入れ中
第Ⅱ相: EV-203	NCT04995419	<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	2022年8月にトップライン結果を入手
第Ⅰ相: EV-104	NCT05014139	BCG不応性の高リスクNMIBC; EV単剤を膀胱内注入	n=58	FSFT: 2022年1月

その他の種類の固形がん

第Ⅱ相: EV-202	NCT04225117	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、胃腺がん・食道腺がんまたは食道胃接合部腺がん、 食道扁平上皮がん; EV単剤	n=280	FSFT: 2020年3月 2022年6月に初回トップライン結果を入手
----------------	-------------	---	-------	--



エンホルツマブ ベドチン(EV) (3/4) : 病期別臨床試験データ

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

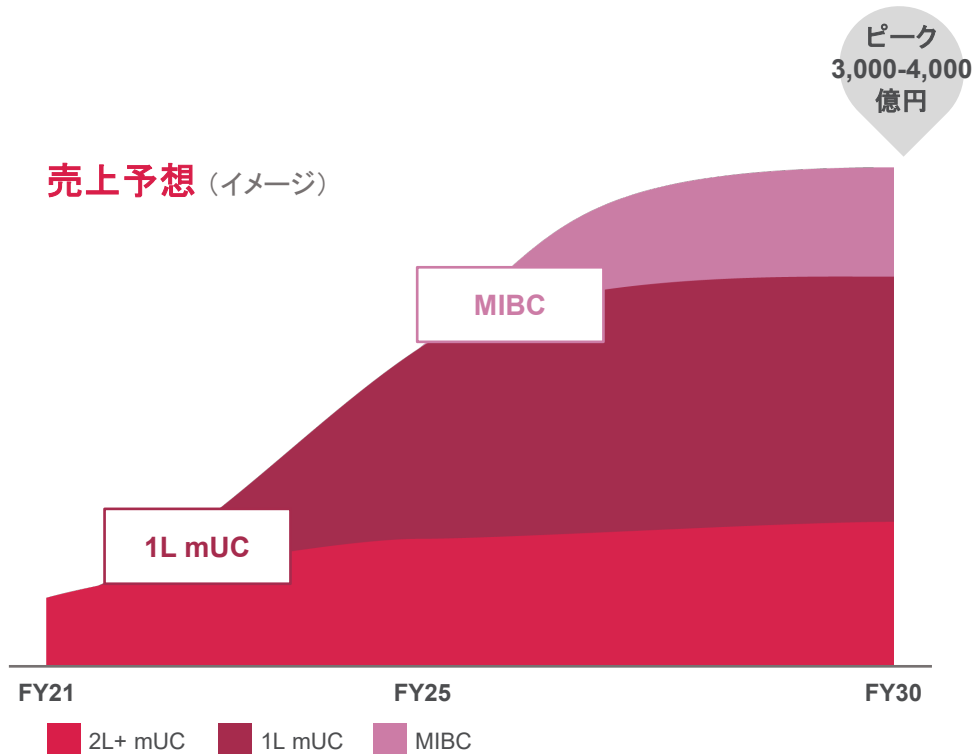
病期	早期			後期					
	筋層浸潤性膀胱がん			転移性尿路上皮がん					
	手術適応		治療歴なし(一次治療)			PD-1/L1阻害剤の治療歴あり			
	Cis適応	Cis不適応	白金製剤適応	Cis不適応		白金製剤未治療かつCis不適応	白金製剤の治療歴あり		
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2		Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK		EV-103 コホートA & 用量漸増コホート	EV-201 コホート2	EV-201 コホート1	EV-301
症例数	784(2群)	857(3群)	990(2群)	76	73	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	Pembro併用	単剤	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	n/a	化学療法
主要評価項目	pCR & EFS	pCR & EFS	PFS & OS	✓ ORR 64% (CR 11%)	✓ ORR 45% (CR 4%)	✓ 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)	(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.9.0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)	(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)	✓ 64% (CR 11%)	✓ 45% (CR 4%)	✓ 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)	✓ 13.2カ月	✓ 25.6カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.4カ月 vs. 8.1カ月 *

✓: 結果入手済、*: 事前に設定した中間解析、**: 最新結果



エンホルツマブ ベドチン(EV) (4/4) : 今後の展望

- 最大の成長ドライバーはmUCの一次治療、将来的に売上全体の半分以上を占めると想定
- NMIBC、その他固形がんでの成功によりさらなる成長の可能性



<承認取得済み／開発後期段階>

患者層		ピボタル試験 (パドセブ用法)	申請予定時期	対象患者数 ¹
MIBC	Cis不適応	EV-303 (ペムプロリズマブとの併用)	2025年度以降	10,000
	Cis適応	EV-304 (ペムプロリズマブとの併用)	2025年度以降	37,000
1L mUC		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] (ペムプロリズマブとの併用)	2024年度 2022年度 [米国迅速承認申請]	76,000 (うち米国 Cis不適応: 8,000)
2L + mUC	PD-1/L1 阻害剤による治療歴あり、かつCis不適応	EV-201 コホート2 [第II相] (単剤)	承認取得済	1,600 (米国、Cis不適応)
	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)	承認取得済	38,000

<開発初期段階>

患者層	試験 (パドセブ用法)
NMIBC BCG不応性、高リスク	EV-104 [第I相] (単剤、膀胱内注入)
その他固形がん	EV-202 [第II相]* (単剤)

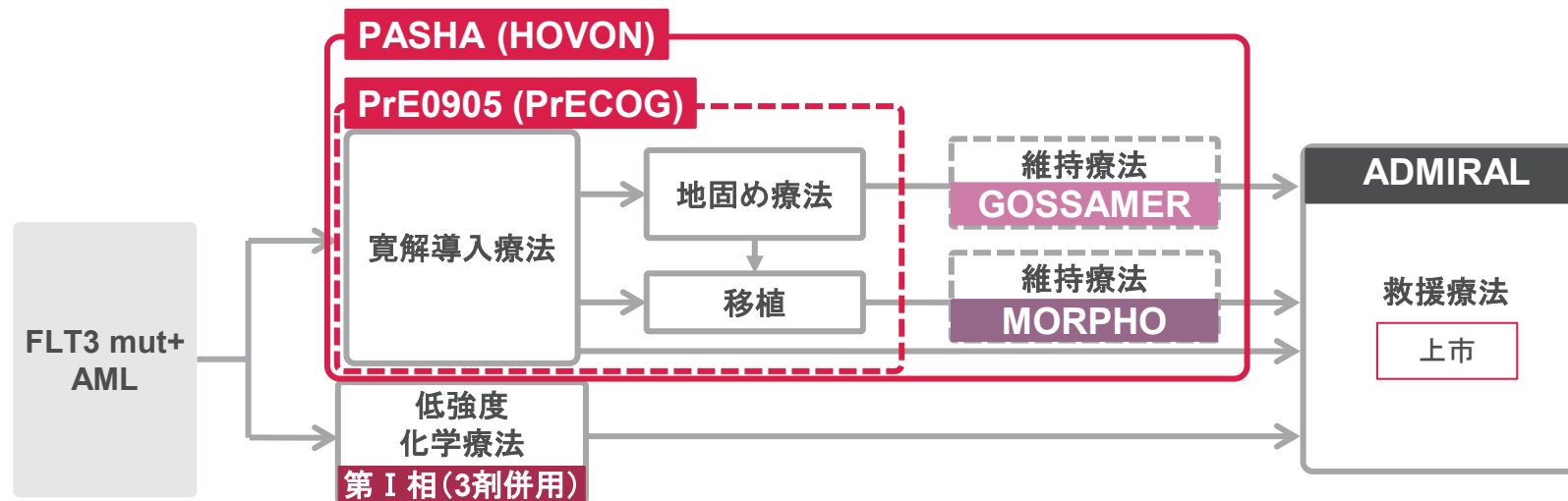
* ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん、トリプルネガティブ乳がん、扁平上皮非小細胞肺癌ん、非扁平上皮非小細胞肺癌ん、頭頸部がん、胃腺がん・食道がんまたは食道胃接合部腺がん、食道扁平上皮がん



1. アステラスによる算定

mUC: 転移性尿路上皮がん、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん、1L: 一次治療、2L+: 二次治療以降、Cis: シスプラチン、BCG: カルメット・ゲラン桿菌

ギルテリチニブ: FLT3阻害剤



再発または難治性	第Ⅲ相:ADMIRAL	NCT02421939	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
未治療 (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相:PASHA (HOVON)	NCT04027309	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)	NCT03836209		n=179	FSFT:2019年12月(治験依頼者:PrECOG, LLC)
造血幹細胞移植後の 維持療法	第Ⅲ相:MORPHO	NCT02997202	単独療法とプラセボとの比較(1:1)	n=356	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	NCT02927262	単独療法とプラセボとの比較(2:1)	n=98	2021年8月にトプライン結果を入手
未治療 (強力な化学療法不適応)	第Ⅰ相	NCT05520567	ベネトクラクスおよびアザシチジン との併用	n=70	2023年1-3月に開始予定

- 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



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	NCT03504397	一次治療、mFOLFOX6との併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=566	症例組み入れ終了
	第III相: GLOW	NCT03653507	一次治療、CAPOXとの併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=507	症例組み入れ終了
	第II相: ILUSTRO	NCT03505320	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	NCT03816163	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	n=369	FSFT: 2019年5月

fezolinetant: NK3受容体拮抗剤

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

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¹

Women's Health Initiative (WHI) の臨床研究²

- 初期のデータ解析で、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乳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た
- その後の解析で、HRTは適切な患者で適切な方法(正しい時間、製剤、用量、期間)で開始されれば安全かつ有効であることが証明されたが、処方には元に戻らず、満足のいくVMS対処法の選択肢が限られた女性がまだまだ一定数存在する

米国および欧州

第Ⅲ相: SKYLIGHT 1	NCT04003155	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	2022年8月に新薬承認申請が米国で受理 2022年9月に販売承認申請が欧州で受理
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	NCT04003142		n=501	
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	NCT04003389	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=1,831	
第Ⅲb相: DAYLIGHT	NCT05033886	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=453	症例組み入れ終了

アジア(日本を除く)

第Ⅲ相: MOONLIGHT 1	NCT04234204	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	主要評価項目を達成せず (12週二重盲検期間のトップライン結果) LSLV: 2022年4月
第Ⅲ相: MOONLIGHT 3	NCT04451226	閉経に伴うVMSを有する患者; 非盲検、30 mg を52週投与	n=150	2022年9月にトップライン結果を入手

日本

後期第Ⅱ相: STARLIGHT	NCT05034042	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=147	症例組み入れ終了
---------------------	-----------------------------	--	-------	----------



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

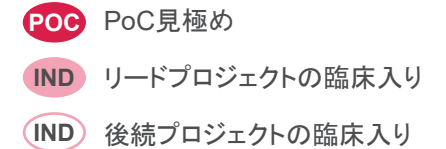
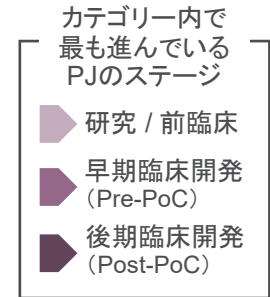
ASPIRO
(XLMTM患者対象の
申請用臨床試験)

NCT03199469 n=26

重篤な有害事象が認められたため、FDAから臨床試験差し止め (clinical hold) 指示。有害事象に関する調査進行中

Focus Areaアプローチの進展： 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

Primary Focus	バイオロジー / モダリティ / テクノロジー ¹	リードプロジェクト	FY22	FY23	FY24-25	FY25末までにPoC見極め時期を迎える予定のPJ数 ²
遺伝子治療	遺伝子置換 (AAV)	AT132				4
		AT845		PoC見極め時期のアップデート検討中		
	遺伝子調節 (AAV)					
がん免疫	チェックポイント	ASP1570	IND			12
	人工アジュバントベクター細胞 (aAVC)	ASP7517	PoC			
	腫瘍溶解性ウイルス (腫瘍内投与)	ASP9801				
	腫瘍溶解性ウイルス (全身投与)		IND			
	二重特異性免疫細胞誘導	ASP2138	IND	ASP2074		
	がん細胞医療 (UDC)					
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317				3
	細胞補充 (UDC)					
	遺伝子調節 (AAV)					
ミトコンドリア	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP0367				4
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731				
	ミトコンドリア・トランスファー					
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	IND			1
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					-
合計						24



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(2022年10月時点)
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、IND: 治験許可申請

<主な進捗>

- pudexacianinium chloride (ASP5354) : がん摘出手術前に実施するリンパ節マッピング時のリンパ節同定への適応拡大を目的とした第Ⅱ相試験を開始
- スマートフォン向けゲームアプリ「ムーミンムーブ」: 歩行習慣や行動に関するデータ取得・解析を目的として北海道および青森県と提携
- 運動支援アプリ(バンダイナムコエンターテインメントとの共同開発) : 開発中止

変化する医療の最先端へ

