

2023年度第2四半期決算概況



2023年11月1日
アステラス製薬株式会社
代表取締役社長CEO
岡村 直樹

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

2023年度第2四半期 連結業績
2023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

2023年度第2四半期決算の概要

2023年度第2四半期決算から、Iveric Bio社買収の影響を反映した業績を開示

売上収益は前同比較で増加（為替の影響を除くとレキスキャン後発品の影響により減少）

- がん領域の3製品(XTANDI、パドセブ、ゾスパタ)全体で期初予想を上回る推移、通期予想を上方修正
- VEOZAHは期初予想を下回る推移、3Qの進捗を踏まえて通期予想を見直す予定
- IZERVAYは期待に沿った立ち上がり

費用項目

- 販管費は期初予想に沿った推移、研究開発費は期初予想を上回る推移
（為替およびIveric Bio社買収の影響を除く）

営業利益

- レキスキャン後発品およびIveric Bio社買収の影響により、コア営業利益は前同比較で25%減少
上記影響を踏まえ、通期予想を下方修正

Iveric Bio社買収の企業結合会計

無形資産\$6,300M、のれん\$251Mを計上

<開始貸借対照表(2023年7月11日取得時点)*>

単位:\$ million

- IZERVAY 米国
\$5,200M
→2023年度2Qから償却開始
- IZERVAY 米国以外の国
\$1,100M
→発売後償却開始予定

諸資産 408	諸負債 164
無形資産 6,300	繰延税金負債 1,062
	支払対価 5,993
のれん 251	
株式報酬関連費用 261	

* 暫定的な会計処理のため今後の会計期間で変更の可能性あり

2023年度第2四半期業績

(億円)	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減額	増減率	2023年度 期初予想*	進捗率	為替の影響(前同比較)
売上収益	7,622	7,671	+50	+0.6%	15,200	50.5%	+378億円
売上原価	1,517	1,434	-83	-5.5%			+65億円
売上収益比率	19.9%	18.7%	-1.2 ppt				
販管費	3,080	3,475	+395	+12.8%	6,610	52.6%	+161億円
内、米国XTANDI共同販促費用	897	930	+34	+3.8%	1,760	52.8%	
上記を除く販管費	2,183	2,544	+361	+16.5%	4,850	52.5%	+116億円
研究開発費	1,392	1,419	+28	+2.0%	2,510	56.5%	+45億円
無形資産償却費	200	337	+138	+68.9%			
無形資産譲渡益	2	94	+92	-			
コア営業利益	1,454	1,098	-356	-24.5%	2,900	37.9%	+110億円
<フルベース>							
その他の収益	162	71	-92	-56.4%			その他の費用
その他の費用	417	659	+241	+57.8%			<ul style="list-style-type: none"> • Iveric Bio社買収に伴う株式報酬関連費用: 367億円 • 為替の変動によるゾルバツキシマブの条件付対価の公正価値増加: 88億円
営業利益	1,199	510	-689	-57.4%	2,590	19.7%	
税引前四半期利益	1,205	522	-683	-56.7%	2,600	20.1%	
四半期利益	964	317	-648	-67.2%	2,040	15.5%	

* 期初予想の為替レート: 1ドル130円、1ユーロ140円、コアベース: 4月27日公表、フルベース: 8月1日修正

XTANDI、パドセブ、ゾスパタのビジネスアップデート

がん領域の3製品全体で、期初予想を上回る推移。それぞれ通期予想を上方修正、合計で約+180億円(為替の影響を除く)

(億円)	2023年度2Q実績	前同比	期初予想	修正予想	
 Xtandi® (enzalutamide)	3,609	+289 (+9%)	6,699	7,198 (為替の影響を除くと 約+30)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想に沿って拡大 米国が想定を下回るも、米国以外の地域の進捗でオフセット ✓ 米国: 引き続きPAPの水準が高いものの、PAPを除く物量は着実に増加 (物量前同比+3%) ✓ 米国以外: EMとINTが期初予想を上回る推移、主にM1 CSPCが貢献 ✓ 好調な地域が米国の下振れを上回ることを見込み、通期予想を上方修正
 PADCEV® enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials	327	+119 (+57%)	667	852 (為替の影響を除くと 約+130)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想を上回る推移、年度後半も継続成長を見込む ✓ 米国: mUC一次治療の適応(Cis不適応)の浸透が引き続き想定を上回る、 更なる売上の加速を期待。また、EV-302試験に基づくmUC一次治療 の追加適応(Cis適応)の承認を年度内に見込む ✓ EM: ドイツとイタリアで保険償還が開始、3Q以降の売上拡大を見込む ✓ 主に米国の好調な状況や見通しを反映し、通期予想を大幅に上方修正
 XOSPATA® gilteritinib 40mg tablets	263	+28 (+12%)	493	552 (為替の影響を除くと 約+20)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想を上回る推移 ✓ 各地域において新規患者数が想定を上回り、物量が増加 ✓ グローバル全体の好調な状況を反映し、通期予想を上方修正

期初予想の為替レート: 1ドル130円、1ユーロ140円 修正予想の為替レート: 1ドル140円、1ユーロ152円(3Q以降の想定: 1ドル140円、1ユーロ150円)

PAP(Patient Assistance Program): 患者アクセスプログラム、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

EM(Established Markets): 欧州、カナダ等 INT(International Markets): 中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、韓国、オーストラリア、輸出売上等

VEOZAHのビジネスアップデート

全体の活動はオントラックも、DTC開始前の需要が想定を下回り、2Q実績は期初予想を下回る推移
テレビCMを含む本格的なDTC活動が予定通りに開始、3Qの進捗を踏まえて通期予想を見直す

(億円)

2023年度2Q実績

通期予想



13

期初予想は3Qに見直す予定

- ✓ DTC開始前の需要が想定を下回り、2Q実績は期初予想を下回る推移
この影響で期初予想の下振れを見込むも、ピーク売上の見直しには引き続き自信を持つ
- ✓ 3Q以降に本格的な売上拡大を見込む、3Qの進捗を踏まえて通期予想を見直す

<2Qまでの状況>

マーケット
アクセス

- 民間保険カバレッジは想定通りに推移(約20%)
- Payer(支払者)との協議は想定通りに進行中
- 新薬がカバレッジの対象となるには一般的に6カ月程度かかる、年度を通じてカバレッジの拡大を見込む

医師

- 7万人の医師に対面で面会
- VEOZAHの認知度は想定通りに向上
約40%(7月) → 約50%(9月)*

患者

- 計9千人の患者が処方箋からVEOZAHを入手

10月9日から米国にて
テレビCMを開始



<今後の見通し>

- ✓ テレビCMを含むDTC活動の本格的な効果は12月以降を見込む
- ✓ 通期予想はDTC活動の効果や保険カバレッジの進捗を踏まえて見直す
- ✓ ピーク売上の見直しは変えていない

*マーケットリサーチ結果(2023年9月)、DTC:Direct-to-consumer

IZERVAYのビジネスアップデート

9月に発売、期待に沿った立ち上がり。2025年度にBreakeven、ピーク売上は2,000-4,000億円を見込む

(億円)	2023年度2Q実績	通期予想
 (avacincaptad pegol intravitreal solution) 2 mg	12	110

<2Qの進捗>

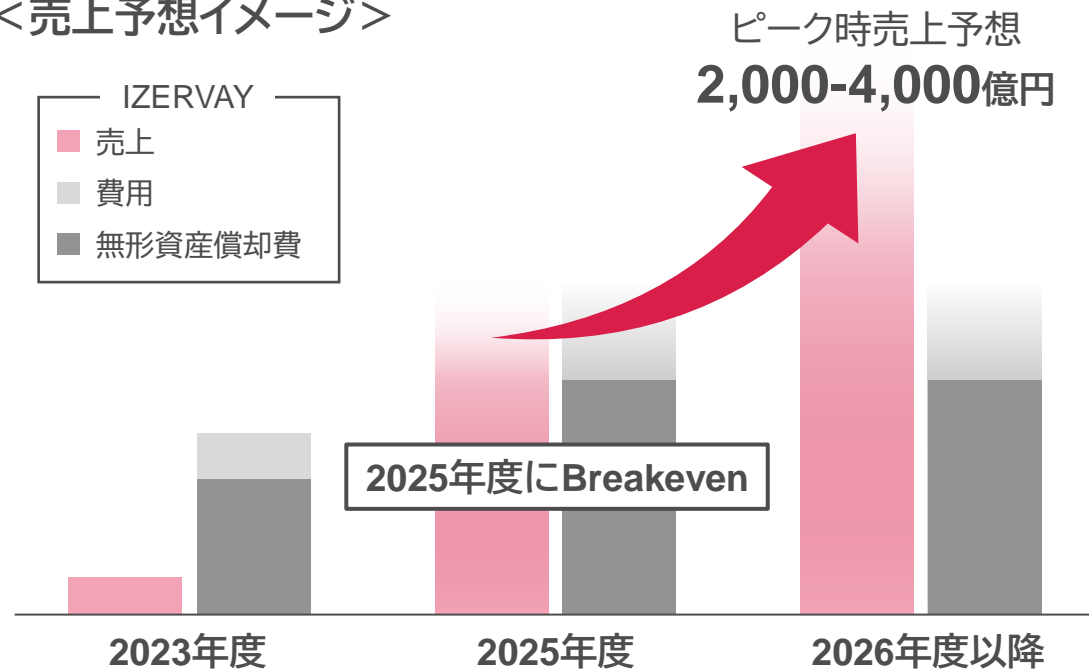
- ✓ 米国で8月に承認取得、9月に発売
- ✓ 期待に沿った立ち上がり
- ✓ 1万バイアルを出荷
- ✓ 500の専門施設で採用



<マーケットアクセス>

- ✓ 主にMedicare Part Bを想定
- ✓ J-Codeは申請済み(2024年4月に承認を見込む)

<売上予想イメージ>



<無形資産償却費>

- ✓ 2023年度: 約600億円
- ✓ 2024年度以降: 約800-1,000億円(主に為替で変動)

2023年度第2四半期業績：費用項目

売上原価率は想定通り

販管費は期初予想に沿った推移、研究開発費は期初予想を上回る推移
(為替およびIveric Bio社買収の影響を除く)

コアベース：主要な費用項目の前同比較と対売上収益比率・対予想

費用項目	対前同比	対売上収益比率	対期初予想 進捗率	
売上原価	5.5%減少	18.7% (前同-1.2 ppt)	-	✓ 売上原価率は想定通り
販管費 米国XTANDI共同 販促費用を除く	16.5%増加 (為替の影響を 除くと11.2%増加)	33.2% (前同+4.5 ppt)	52.5%	✓ VEOZAH関連の費用増加(対前同:約+130億円) ✓ 成熟製品の費用削減(対前同:約-40億円) ✓ Iveric Bio社買収の影響:約+100億円
研究開発費	2.0%増加 (為替の影響を 除くと1.2%減少)	18.5% (前同+0.2 ppt)	56.5%	✓ ゾルベツキシマブの開発費用が想定を上回る推移 ✓ Iveric Bio社買収の影響:約+40億円

2023年度通期業績予想 修正予想

- 売上収益: 上方修正
 - ✓ ポジティブな為替の影響を反映。XTANDI、パドセブ、ゾスパタは上方修正、レキスキャンは下方修正
- 営業利益: 下方修正
 - ✓ レキスキャンに加え、Iveric Bio社買収の影響により下方修正

通期業績修正予想の為替レート:
1ドル:140円、1ユーロ:152円
(3Q以降の想定:1ドル:140円、1ユーロ:150円)

(億円)	2023年度 期初予想*	主な修正項目 Iveric Bio社買収影響除く	2023年度 修正予想 買収影響除く	Iveric Bio社 買収影響	2023年度 修正予想
売上収益	15,200	為替の影響:約+900 XTANDI、パドセブ、ゾスパタ:合計約+180 レキスキャン:約-260	15,970	IZERVAY:+110	16,080
販管費	6,610		6,990		7,370
内、米国XTANDI共同販促費用	1,760	主に為替の影響	1,870	約+380 (買収に伴う一時的な諸経費を含む)	1,870
上記を除く販管費	4,850		5,120		5,500
研究開発費	2,510	為替の影響 ゾルバツキシマブの開発費用増加	2,710	約+190	2,900
				IZERVAY無形資産償却費:約+600	
コア営業利益	2,900	為替の影響:約+190	3,020		1,990
<フルベース>					
営業利益	2,590	主に想定為替レートの変更による ゾルバツキシマブの条件付対価の 公正価値増加:約+70	2,630	株式報酬関連費用:約+370	1,230

* 期初予想の為替レート:1ドル130円、1ユーロ140円 コアベース:4月27日公表、フルベース:8月1日修正

本日の内容

I
2023年度第2四半期 連結業績
2023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

持続的な成長に向けた取り組み：アップデート概要

13

XTANDIおよび重点戦略製品

- エンザルタミド / XTANDI : M0 CSPC*追加適応申請受理(米国、欧州)
- エンホルツマブ ベドチン / パドセブ : EV-302試験トップライン結果入手、欧州臨床腫瘍学会(ESMO)発表
- fezolinetant / VEOZAH : CHMP販売承認勧告
- avacincaptad pegol / IZERVAY : 米国承認、GATHER2試験24カ月データトップライン結果入手

Focus Areaアプローチ

- 遺伝子治療：AT845 FORTIS試験再開後の最初の投与
- がん免疫 :新規プログラム臨床入り(ASP1012: 全身投与型腫瘍溶解性ウイルス)

Rx+プログラム

- pudexacianinium chloride(ASP5354): 第Ⅲ相試験において最初の症例への投与

VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認申請中

* 生化学的再発高リスク

M0 CSPC: 非転移性去勢感受性前立腺がん、ESMO: European Society for Medical Oncology、CHMP: 欧州医薬品委員会

XTANDIおよび重点戦略製品：2023年度に期待される主なイベント

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)
エンザルタミド/ XTANDI		申請受理 (M0 CSPC*:米国) ★ 8月	審査終了目標日 (PDUFA date)	
エンホルツマブ ベドチン/ パドセブ			申請受理 (M0 CSPC*:欧州、M1 CSPC:中国) ★ 9月	申請 (1L mUC:グローバル)
ゾルベツキシマブ	★ 申請受理(日本) 6月	★ 申請受理(米国、欧州、中国) 7月		審査終了目標日 (PDUFA date) 🎯 1月
fezolinetant/ VEOZAH	★ 承認(米国) 5月	CHMP販売承認 勧告(欧州) ★	★ 10月	当局判断 (欧州)
avacincaptad pegol/ IZERVAY		承認(米国) 申請受理(欧州) ★ 8月	★ 9月	GATHER2試験 TLR(24カ月) ★ 9月
				申請 (ラベル改訂:米国)

 当局判断
 申請
 達成

<その他のアップデート>

2023年10月時点

- エンザルタミド / XTANDI: 2023年10月にEMBARK試験の結果をNew England Journal of Medicine誌で発表
- エンホルツマブ ベドチン / パドセブ: 2023年10月にEV-103試験コホートLおよびEV-302試験の結果を欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で発表
- ゾルベツキシマブ: 2023年10月にSPOTLIGHT試験及びGLOW試験のフォローアップデータをESMOで発表
- avacincaptad pegol / IZERVAY: 2023年9月にGATHER2試験の12カ月データをLancet誌で発表

VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認申請中

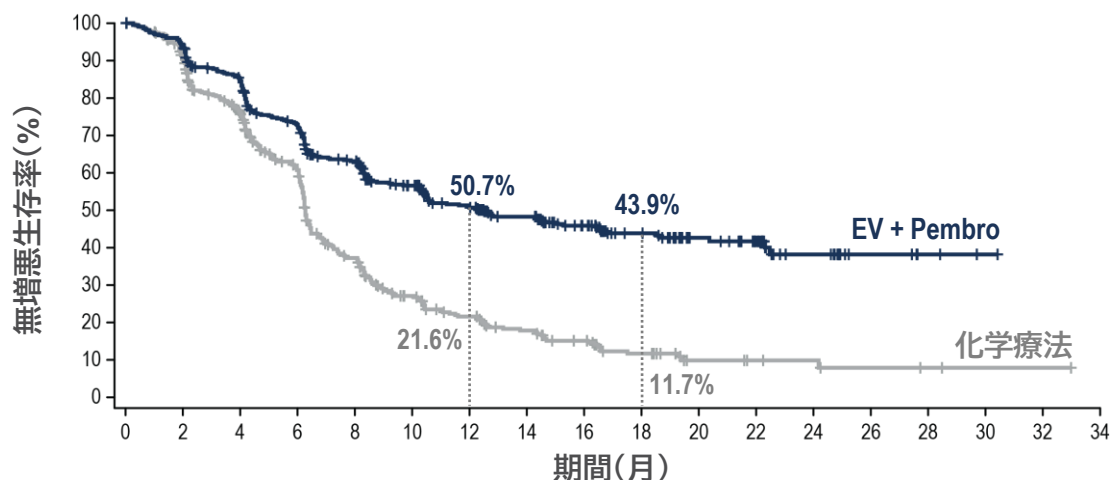
* 生化学的再発高リスク。 M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、M1:転移性、PDUFA:Prescription Drug User Fee Act、TLR:トップライン結果、1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、CHMP:欧州医薬品委員会、ESMO:European Society for Medical Oncology



エンホルツマブ ベドチン/パドセブ: EV-302試験最新データ

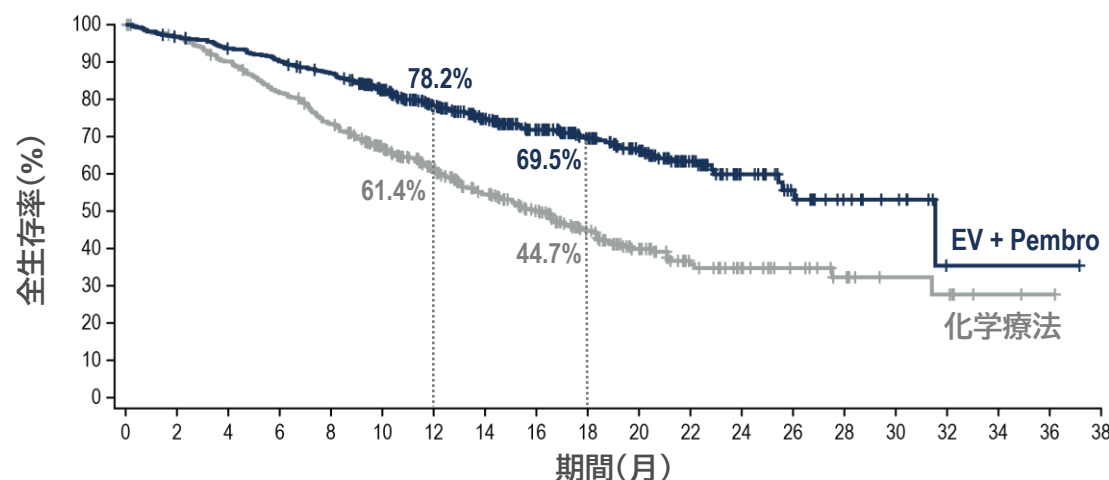
- 化学療法に対して統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善:mOSおよびmPFSを約2倍に延長
- 1L mUCにおける新たな標準治療としての地位確立を目指す

<無増悪生存期間(PFS)>



	N	イベント数 (%)	ハザード比 (95% CI)	P値 (両側検定)	mPFS (95% CI)、月
EV + Pembro	442	223 (50.5)	0.45	<0.00001	12.5 (10.4-16.6)
化学療法	444	307 (69.1)	(0.38-0.54)		6.3 (6.2-6.5)

<全生存期間(OS)>



	N	イベント数 (%)	ハザード比 (95% CI)	P値 (両側検定)	mOS (95% CI)、月
EV + Pembro	442	133 (30.1)	0.47	<0.00001	31.5 (25.4-NR)
化学療法	444	226 (50.9)	(0.38-0.58)		16.1 (13.9-18.3)

<今後の計画>

- 1L mUCを対象としたグローバルでの当局申請を2023年度中に実施予定
- ピーク時売上予想の上方修正を検討中

- 化学療法: シスプラチン or カルボプラチン + ゲムシタビン
- 化学療法群の30.4%でアベルマブ維持療法が施行

ゾルベツキシマブ: 最新状況

ファーストインクラスターゲットであるClaudin 18.2の啓発活動が上市に向けてグローバルで計画通りに進行中

上市に向けた活動

- 胃がんを診療する医師、病理医への啓発活動
 - ✓ 啓発サイト¹の開設によりClaudin 18.2の認知度が向上、約8万アクセスを確認(2023年10月末)
 - ✓ 11学会で疾患とClaudin 18.2に関する啓発活動を実施(2023年9月末)、今後6学会で実施予定(2023年度末まで)
- Claudin 18.2陽性²の判定に用いるコンパニオン診断薬はロシュ社が開発中
- 発売までの患者アクセスを確保するため、約20か国で早期アクセスプログラムを実施予定

ASCO 2023(シカゴ)



ESMO 2023(マドリッド)



ESMO GI 2023(バルセロナ)



ゾルベツキシマブ説明会: 米国で承認取得後、コマーシャル戦略にフォーカスして開催予定(12月-1月を想定)

1. <https://www.claudin182.com/>, <https://www.gastriccancerbiomarkers.com/>

2. VENTANA CLDN18(43-14A) Rx/Dx Assayを用いた免疫組織化学染色において、腫瘍細胞の75%以上で中等度から強度の染色強度を示した場合にClaudin 18.2陽性と判定
ASCO: American Society of Clinical Oncology, ESMO: European Society for Medical Oncology, GI: Gastrointestinal Cancers

Focus Areaアプローチの進展：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*	プロジェクト	作用機序	現況
遺伝子治療	遺伝子置換(AAV)	AT132	MTM1遺伝子	2021年9月にFDAから臨床試験差し止め(clinical hold)指示
		AT845	GAA遺伝子	2023年9月にFORTIS試験再開後の最初の投与を達成
	遺伝子調節(AAV)			
がん免疫	チェックポイント	ASP1570	DGKζ阻害剤	第I相試験進行中
	二重特異性免疫細胞誘導	ASP2138	抗Claudin 18.2/抗CD3	第I相試験進行中
		ASP2074	抗TSPAN8/抗CD3	第I相試験進行中
		ASP1002	非開示	第I相試験進行中
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)	ASP1012	レプチン-IL-2	第I相試験を2024年1-3月に開始予定
	がん細胞医療			
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317	網膜色素上皮細胞	第I b相試験進行中
	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	PPARδ調節剤	PMM: 第II/III相試験進行中 DMD: 今後の開発計画検討中
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	KRAS G12D分解	第I相試験進行中 FDAからファストトラック指定を取得(2023年8月: 大腸がん、2023年9月: 非小細胞肺癌)
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			

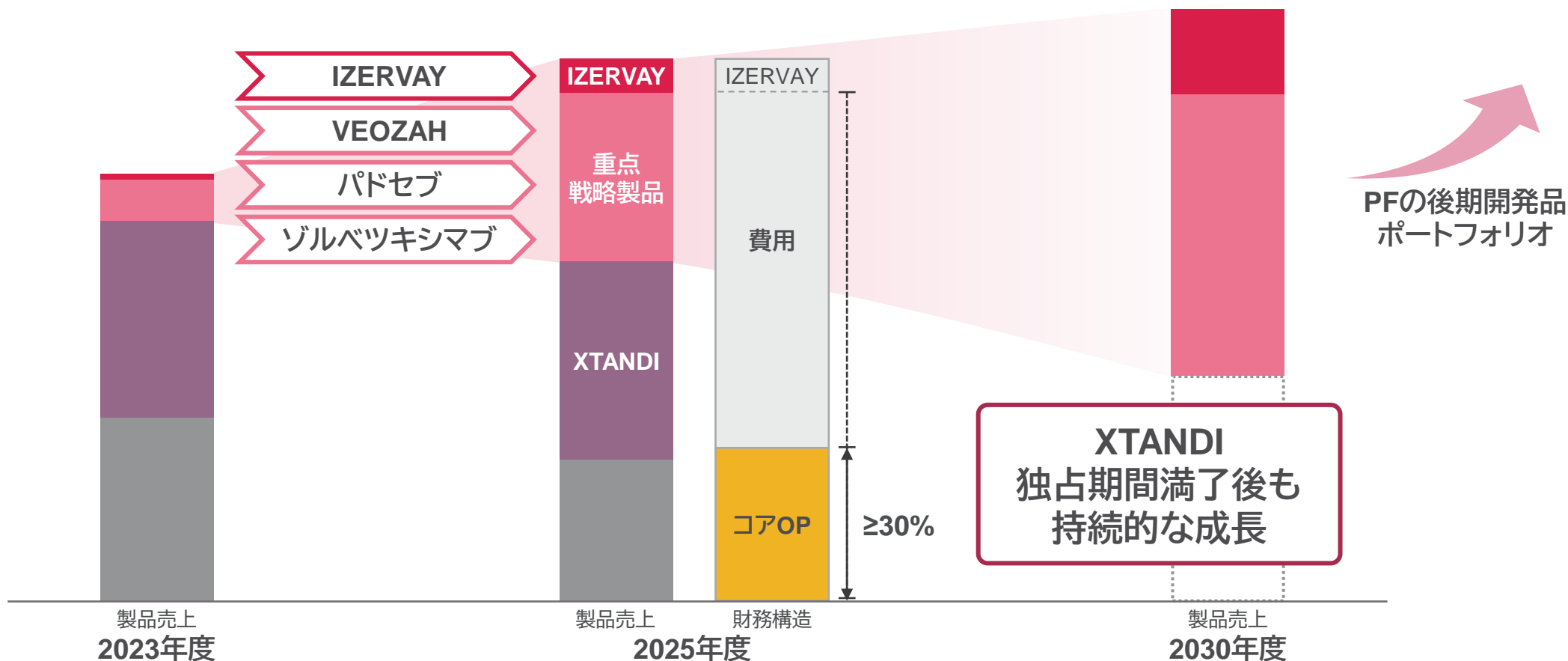
モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞

* 全ては列挙していない。AAV: アデノ随伴ウイルス、MTM1: ミオチューブラリン1、FDA: 米国食品医薬品局、GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、DGK: ジアシルグリセロールキナーゼ、TSPAN8: テトラスパニン8、IL-2: インターロイキン-2、UDC: ユニバーサルドナー細胞、PPAR: パルオキシノーム増殖剤活性化受容体、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、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue

経営計画2021達成に向けて

- 引き続き当初の経営計画2021の達成を目指す。IZERVAYは2025年度にBreakevenを見込む
- 重点戦略製品に加えてIZERVAYも2026年度以降に利益貢献し、XTANDI独占期間満了の影響を補う



重点戦略製品:本スライド上では経営計画2021公表時(2021年5月)の定義に準ずる
PF:Primary Focus

今後の予定

IZERVAY説明会

✓ 11月6日(月) 7:30-8:15

ゾルベツキシマブ説明会

✓ 米国承認取得後に開催予定(12月-1月を想定)

サステナビリティ・ミーティング2023

✓ 2月21日(水) 10:00-11:30

參考資料



2023年度第2四半期業績：地域別売上収益

(億円)	2022年度 2Q実績	2023年度 2Q実績	増減率
日本	1,333	1,376	+3.2%
米国	3,283	3,067	-6.6%
エスタブリッシュドマーケット	1,756	1,991	+13.4%
グレーターチャイナ	450	449	-0.3%
インターナショナルマーケット	679	746	+10.0%

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ 等、 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：中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、韓国、オーストラリア、輸出売上 等

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2022年度2Q	2023年度2Q	変動
ドル	134円	141円	7円安
ユーロ	139円	153円	15円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益:378億円の増加、コア営業利益:110億円の増加

2023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）	2023年度期初予想	2023年度修正予想	変動
ドル	130円	140円	10円安
ユーロ	140円	152円	12円安

2023年度3Q以降の為替レートの想定：1ドル140円、1ユーロ150円

修正予想前提と比較して1円安となった場合の業績(3Q以降)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円安	
	売上収益	コア営業利益
ドル	約32億円増加	約1億円増加
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)	2023年3月末	2023年9月末
総資産	24,565	35,430
現金及び現金同等物	3,768	3,340
親会社所有者帰属持分	15,080	16,393
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.4%	46.3%

(億円)	2022年度2Q	2023年度2Q
営業CF	1,399	491
投資CF	-347	-7,833
フリーCF	1,052	-7,343
財務CF	-814	6,702
短期借入金及びCPの増減額	-150	2,749
社債の発行及び長期借入れによる収入	-	4,705
自己株式取得	-106	-107
配当金支払額	-457	-539

2023年9月末時点 資金調達残高:8,896億円

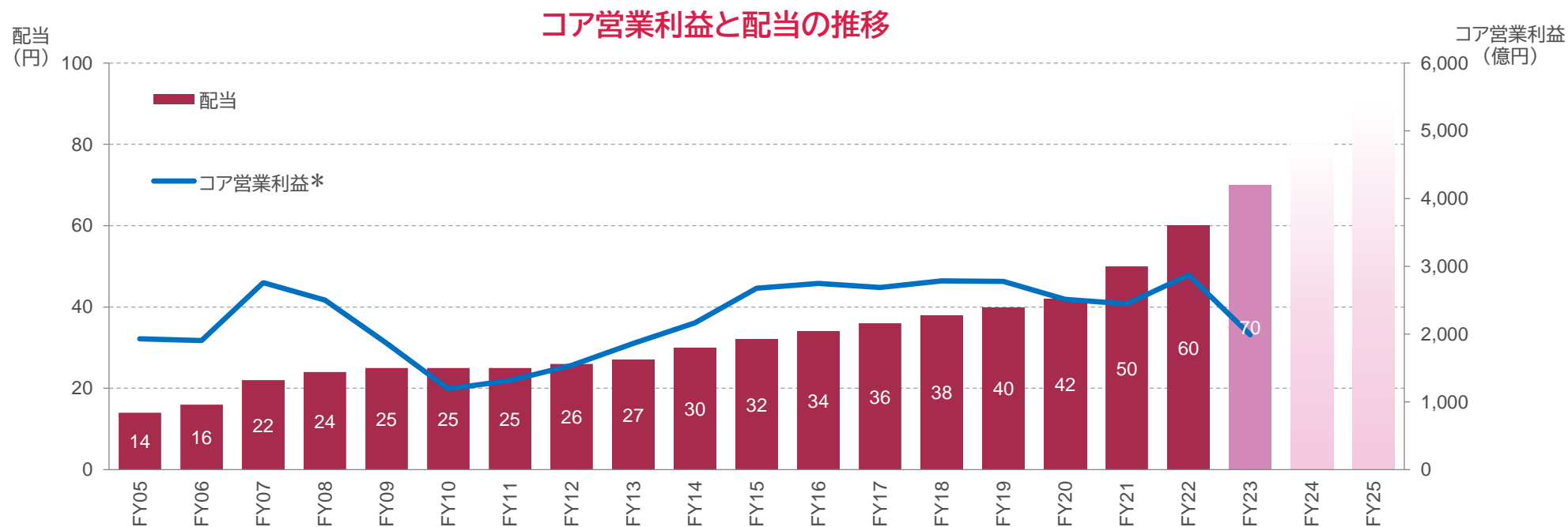
キャピタルアロケーション

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



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

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応)
■ ASP1570
■ ASP2138
■ ASP2074
■ ASP1002
■ ASP1012
■ ASP7317
■ bocidelpar/ASP0367 (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)
■ zocaglusagene nuzaparvovec /AT845
■ ASP3082

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)
■ avacincaptad pegol (Stargardt病)
■ bocidelpar/ASP0367 (原発性ミトコンドリアミオパチー)

第III相

■ 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)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状:中国)
■ ロキサデュスタット (慢性腎臓病に伴う貧血、小児:欧州)
■ ミラベグロン (神経因性排尿筋過活動、小児:欧州)

申請

■ エンザルタミド (M0 CSPC*:米国、欧州、M1 CSPC:中国)
■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のあるmUC:中国)
■ ゾルベツキシマブ (胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん: 日本、米国、欧州、中国)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状:欧州)
■ avacincaptad pegol (地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性:欧州)
■ ペフィシチニブ (関節リウマチ:中国)
■ isavuconazole (小児:米国)

- XTANDIおよび重点戦略製品
- Focus Areaアプローチ
- その他

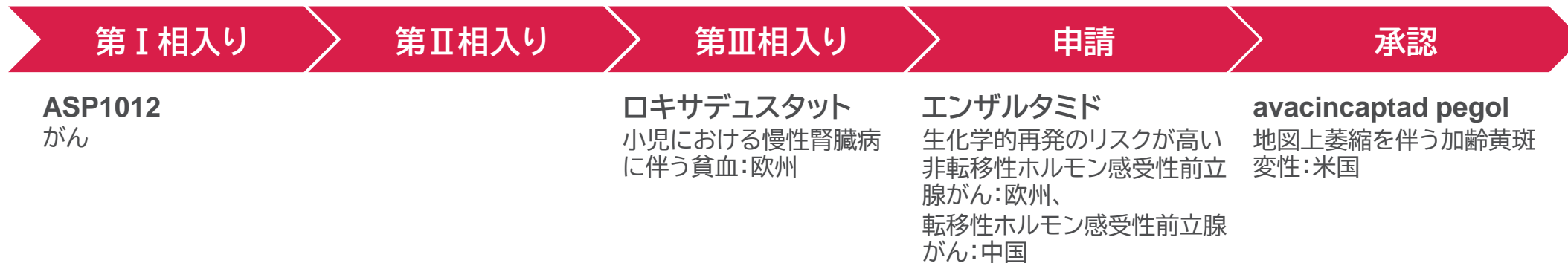
* 生化学的再発高リスク

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、mUC: 転移性尿路上皮がん、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん

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: 前回の決算発表以降の進捗



開発中止

ミラベグロン: 小児における過活動膀胱(第 III 相)
ASP8062: アルコール使用障害(第 I 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"> 中国で追加適応の承認申請が2023年9月に受理
	M0 CSPC(生化学的再発高リスク)	<ul style="list-style-type: none"> 米国で追加適応の承認申請が2023年8月に受理。欧州で追加適応の承認申請が2023年9月に受理。第Ⅲ相EMBARC試験の結果をNEJM誌で2023年10月に発表
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):米国で追加適応の迅速承認を2023年4月に取得(シスプラチン不適応)。第Ⅲ相EV-302試験のトップライン結果を2023年9月に入手、欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で2023年10月に発表 治療歴あり:中国で申請が2023年3月に受理
	筋層浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中。EV-103試験コホートLの結果を欧州臨床腫瘍学会(ESMO)で2023年10月に発表
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
	その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MORPHO試験のトップライン結果を2023年3月に入手
	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(症例組み入れ終了)
	未治療AML(強力な化学療法不適応)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
ゾルバツキシマブ	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 日本で承認申請が2023年6月に受理。米国、欧州、中国で承認申請が2023年7月に受理
	膵臓腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中
fezolinetant / VEOZAH	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2023年5月に承認取得。CHMPが販売承認勧告を2023年10月に採択。第Ⅲ相DAYLIGHT試験のトップライン結果を2023年6月に入手 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試験のトップライン結果を2023年3月に入手
avacincaptad pegol / IZERVAY	地固上萎縮を伴う加齢黄斑変性	<ul style="list-style-type: none"> 米国で2023年8月に承認取得。欧州で承認申請が2023年8月に受理。第Ⅲ相GATHER2試験の12カ月データをLancet誌で2023年9月に発表。第Ⅲ相GATHER2試験24カ月データのトップライン結果を2023年9月に入手
	Stargardt病	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中

VEOZAH:欧州ではVEOZAの製品名で承認申請中

M1:転移性、M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、NEJM:New England Journal of Medicine、ESMO:European Society for Medical Oncology、AML:急性骨髄性白血病、

CHMP:欧州医薬品委員会、LSLV:最終症例における最終観察

XTANDIおよび重点戦略製品：ピーク時売上予想(2023年10月時点)

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)	7,000 以上
VEOZAH (fezolinetant)	3,000 - 5,000
パドセブ (エンホルツマブ ベドチン) ¹	3,000 - 4,000
IZERVAY (avacincaptad pegol)	2,000 - 4,000
ゾスパタ (ギルテリチニブ)	1,000 - 2,000
ゾルベツキシマブ	1,000 - 2,000
エベレンゾ (ロキサデュスタット) ²	500 未満
AT132 (resamirigene bilparvovec)	500 未満

ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2023年10月時点)、当第2四半期からIZERVAYを重点戦略製品に追加

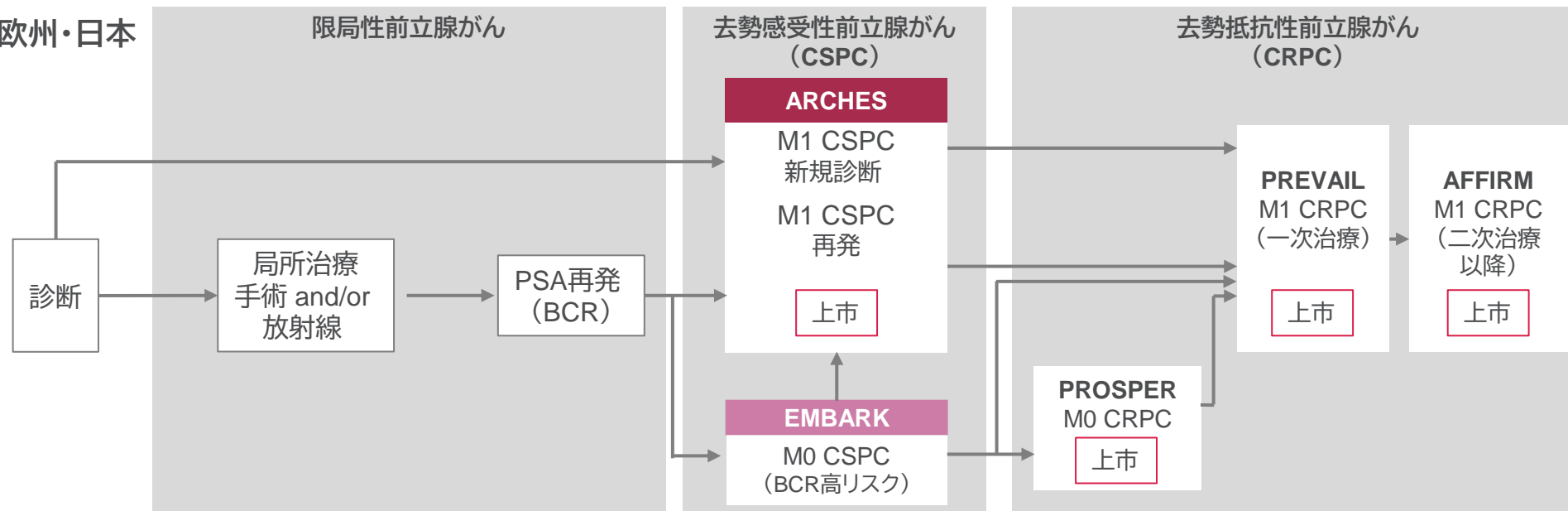
1. 米州については、パートナーのSeagen社が計上する売上を用いて算出、

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

エンザルタミド(1/2): アンドロゲン受容体阻害剤

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

米国・欧州・日本



第Ⅲ相: EMBARK

[NCT02319837](#)

M0 CSPC

エンザルタミド + ADT vs. プラセボ + ADT
vs. エンザルタミド単剤

n=1,068

2023年8月に米国で追加適応の承認申請が受理
2023年9月に欧州で追加適応の承認申請が受理

中国 • M1 CSPC: 2023年9月に追加適応の承認申請が受理

エンザルタミド(2/2): 病期別第Ⅲ相試験データ

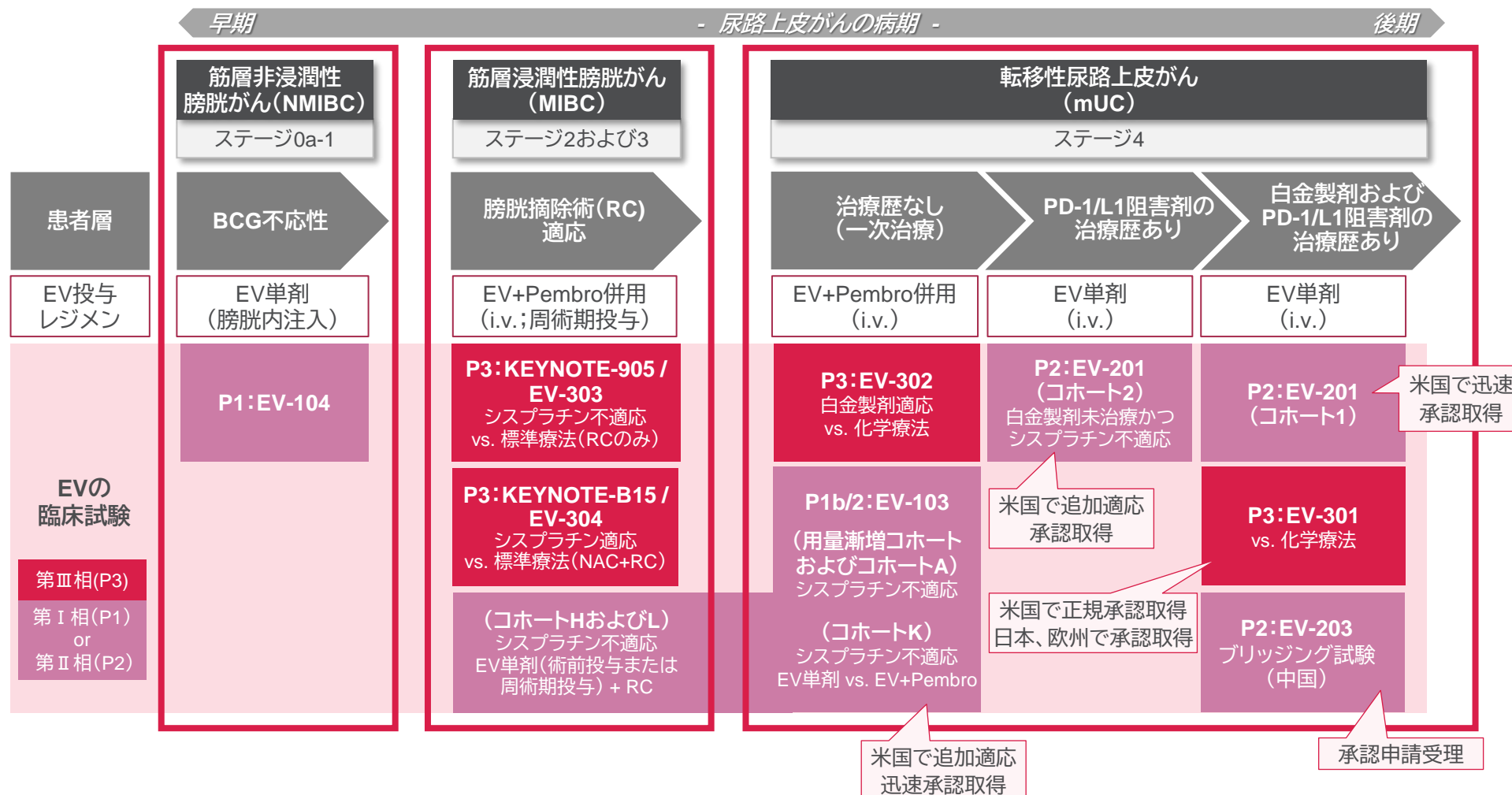
早期前立腺がんにおいても薬効を示す

- ✓ 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 HR 0.42	✓ 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)	✓ 32.4カ月**	✓ 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、**:治療中断期間を除く

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



ADC: 抗体-薬物複合体、BCG: カルメット・ゲラン桿菌、Pembro: ペムブロリズマブ、i.v.: 静脈内投与、NAC: 術前化学療法

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	2023年9月にトップライン結果を入手
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(オープン): EV + Pembro(術前投与) L: EV単剤(周術期投与)	n=348	コホートKおよび他コホート: 2023年4月に米国で追加適応の 迅速承認取得 症例組み入れ終了
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	2023年3月に承認申請受理
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 頭頸部扁平上皮がん; EV + Pembro	n=320	EV単剤コホートの症例組み入れ終了 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:HR 0.45 ✓ OS:HR 0.47	✓ 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)	✓ HR 0.47 (31.5カ月 vs.16.1カ月)	(試験進行中)	✓ (21.7カ月)	✓ (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)	✓ HR 0.45 (12.5カ月 vs.6.3カ月)	(試験進行中)	✓ (8.2カ月)	✓ (12.7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)	✓ 67.7% vs. 44.4% (CR 29.1% vs. 12.5%)	✓ 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	✓ 22.1カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.4カ月 vs. 8.1カ月 *

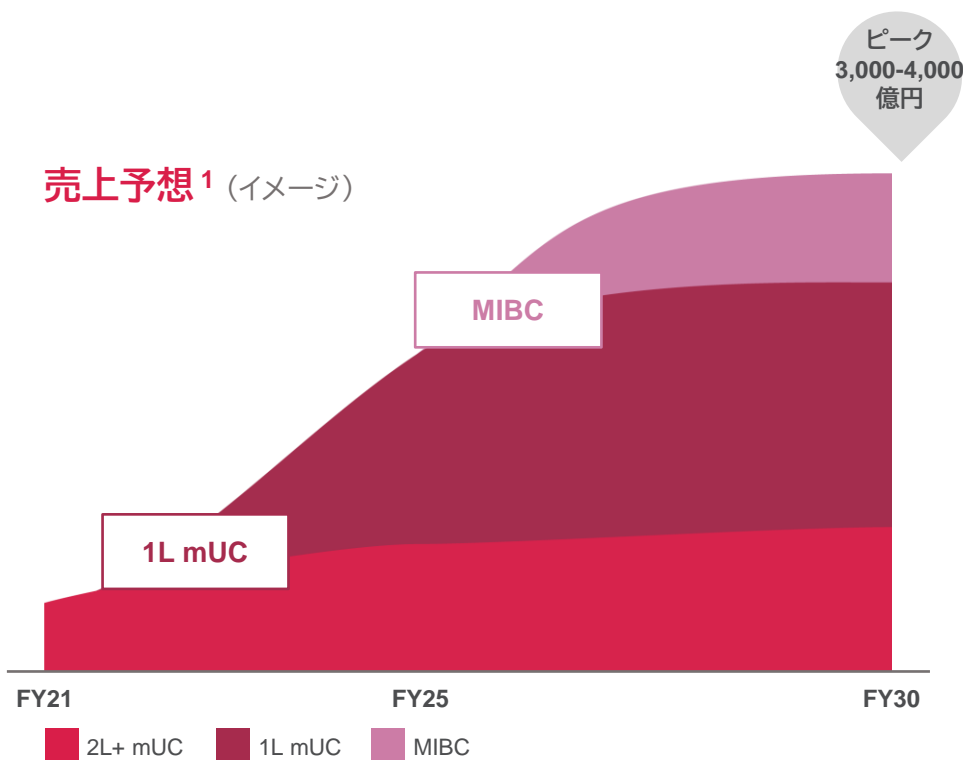
✓:結果入手済、*:事前に設定した中間解析、**:最新結果

Cis:シスプラチン、Pembro:ペムプロリズマブ、pCR:病理学的完全奏効、EFS:無事象生存期間、CR:完全奏効、HR:ハザード比

エンホルツマブ ベドチン(EV)(4/4): 今後の展望

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

- 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 (EV用法)	申請目標時期	対象患者数 ²
MIBC	Cis不適応	EV-303 (Pembro併用)	2025年度以降	10,000
	Cis適応	EV-304 (Pembro併用)	2025年度以降	37,000
1L mUC		EV-302 EV-103コホート [第 I b/II 相; 米国迅速承認申請] (Pembro併用)	2023年度 承認取得済 [米国迅速 承認申請]	76,000 (うち米国 Cis不適応: 8,000-9,000)
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; 米国迅速承認] (単剤)	承認取得済	38,000

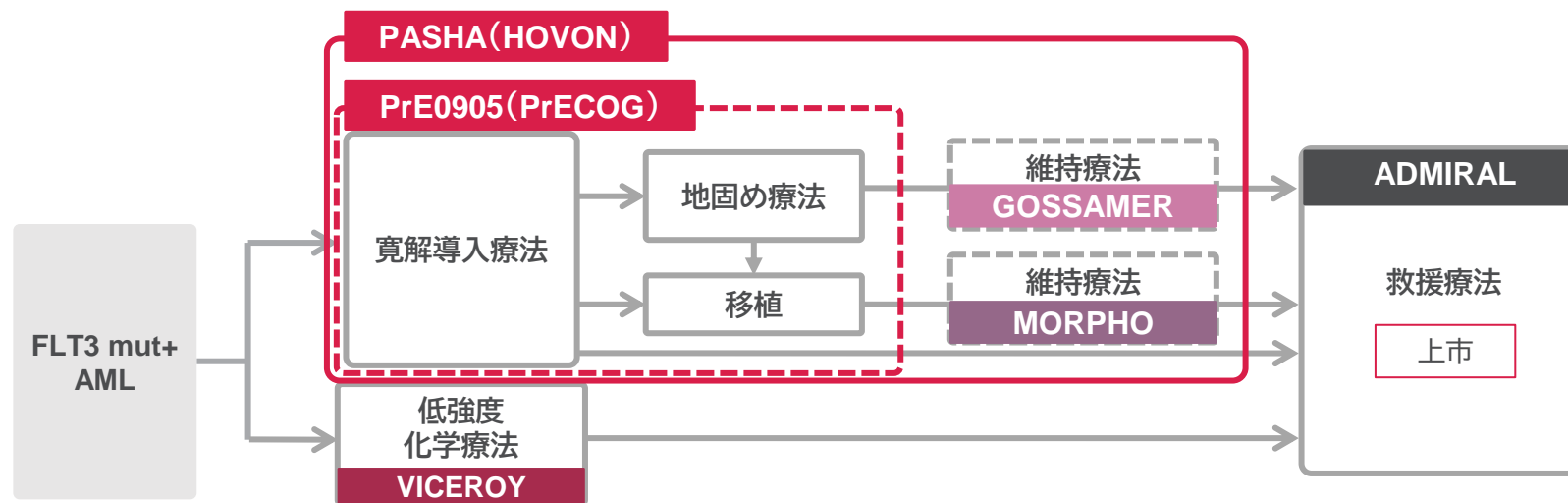
<開発初期段階>

患者層	試験 (EV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* / Pembro併用**)

*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、
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

**Pembro併用:
頭頸部扁平上皮がん

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=766	症例組み入れ終了(治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	NCT03836209		n=179	症例組み入れ終了(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	2023年3月にトップライン結果を入手 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月にトッ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:VICEROY	NCT05520567	ベネトクラクスおよびアザシチジン との併用	n=70	FSFT:2023年1月

- 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38%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年生存率が約6%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	2023年6月に日本で、2023年7月に米国、欧州、中国で承認申請が受理
	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	
	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	2023年5月に米国で承認取得 2022年9月に承認申請が欧州で受理 2023年10月にCHMPが販売承認勧告を採択
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	2023年6月にトプライン結果を入手

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プライン結果)
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	2023年3月にトプライン結果を入手
---------------------	-----------------------------	-------------------------------------------------------	-------	--------------------

avacincaptad pegol(ACP): 補体因子C5阻害 / PEG化RNAアプタマー

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

地図状萎縮

- 萎縮型加齢黄斑変性の進行に伴い発症
- 米国の患者数:約150万人¹
- 患者のおよそ半数が両目に罹患
- 約40%の患者は失明に至る。増加を続ける失明における上位の原因

ACPの特徴

- PEG化RNAアプタマー(化学合成品)
- 補体因子C5阻害を阻害することで、地図状萎縮の進行を伴う炎症反応や細胞死を遅延

地図状萎縮を伴う 加齢黄斑変性	第Ⅱ/Ⅲ相: GATHER1	NCT02686658	第1群: 1 mg、2 mg vs. 対照群 (n=77) 第2群: 2 mg、4 mg vs. 対照群 (n=209)	n=286	2023年8月に米国で承認取得 2023年8月に欧州で承認申請が受理 2023年9月にGATHER2試験24カ月データの トップライン結果を入手
	第Ⅲ相: GATHER2	NCT04435366	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	NCT03364153	vs. 対照群	n=120	FSFT: Jan 2018

1. Ophthalmology 128:576-586 (2021)

PEG:ポリエチレングリコール、FSFT:最初の症例への投与

Focus Areaアプローチ：2023年度に期待される主なイベント

4プロジェクトで臨床入り、複数のプロジェクトでPoC見極めに向けた第 I 相試験の進展を予定

Primary Focus	臨床入り	第 I 相試験	
		初期データ判明*	投与再開
遺伝子治療	1プロジェクト		✓ AT845
がん免疫	2プロジェクト (✓ ASP1012)	ASP1570 ASP2138	
再生と視力の維持・回復			✓ ASP7317
標的タンパク質分解誘導	1プロジェクト (pan-KRAS)	ASP3082	

✓:達成

変化する医療の最先端へ

