

# 2023年度第3四半期決算概況



2024年2月5日  
アステラス製薬株式会社  
専務担当役員 財務担当  
北村 淳

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3四半期 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3四半期決算：概要

売上収益は前同比較で増加。通期予想を下回る推移

- XTANDI・ゾスパタ：2Qに上方修正した通期予想に沿った推移
- パドセブ：2Qに大きく上方修正した通期予想に沿った推移  
EV-302試験の良好な結果を反映し、ピーク時売上予想を上方修正
- VEOZAH：全体的な取り組みは進展しているものの、実需が想定を下回り、通期予想を下方修正
- IZERVAY：発売後、力強い立ち上がりを示し、今後の成長に自信が深まる進捗

## 費用項目

- 販管費および研究開発費は計画通りに使用

## 営業利益

- 主にVEOZAHの影響により、通期予想を下回る推移

VEOZAHの進捗状況を反映し、売上収益および営業利益の通期予想を下方修正


# 2023年度第3四半期業績

(億円)	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減額	増減率	2023年度 通期予想	為替の影響(前同比較)
売上収益	11,644	11,891	+247	+2.1%	16,080	+588億円
売上原価	2,261	2,193	-68	-3.0%		+102億円
売上収益比率	19.4%	18.4%	-1.0 ppt			
販管費	4,710	5,470	+760	+16.1%	7,370	+261億円
内、米国XTANDI共同販促費用	1,382	1,462	+80	+5.8%	1,870	+69億円
上記を除く販管費	3,327	4,007	+680	+20.4%	5,550	+192億円
研究開発費	2,061	2,163	+103	+5.0%	2,900	+69億円
無形資産償却費	292	662	+370	+126.8%		注)2QからIZERVAYの無形資産償却を開始
無形資産譲渡益	2	97	+95	-		
コア営業利益	2,337	1,496	-840	-36.0%	1,990	+138億円
<b>&lt;フルベース&gt;</b>						
その他の収益	25	85	+60	+236.6%		その他の費用
その他の費用	549	840	+291	+52.9%		・ グローバル全体での組織改革に伴う費用:184億円
営業利益	1,813	741	-1,072	-59.1%	1,230	
税引前四半期利益	1,802	736	-1,066	-59.1%	1,210	
四半期利益	1,448	503	-945	-65.3%	850	

通期予想は2023年11月に修正、為替レートの想定:1ドル140円、1ユーロ152円

# XTANDI、ゾスパタのビジネスアップデート

2Qに上方修正した通期予想に沿った推移、それぞれ通期予想の達成を見込む

(億円)	1Q-3Q累計実績	前年同期比	通期予想	
 Xtandi® (enzalutamide)	5,600	+481 (+9%)	7,198	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想に沿った推移</li><li>✓ 為替の影響を除いても約5%成長、発売から10年以上経過した今も持続的に成長</li><li>✓ 上方修正した通期予想の達成を見込む</li><li>✓ 発売している全ての地域で売上が拡大</li><li>✓ 米国: 2023年11月にEMBARK試験に基づくM0 CSPCの追加適応の承認を取得 PAPを除く物量は着実に増加(物量前年同期比:+3%)</li></ul>
 XOSPATA® gilteritinib 40mg tablets	413	+50 (+14%)	552	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想に沿った推移</li><li>✓ 為替の影響を除いても二桁近い成長</li><li>✓ 上方修正した通期予想の達成を見込む</li></ul>

# パドセブのビジネスアップデート

EV-302試験の良好な結果を反映し、ピーク時売上予想を4,000-5,000億円に上方修正

(億円)	1Q-3Q累計実績	前年同期比	通期予想
 <b>PADCEV</b> enfortumab vedotin <small>Injection for IV infusion 20 mg &amp; 30 mg vials</small>	<b>556</b>	<b>+225</b> <b>(+68%)</b>	<b>852</b>

## 最新の進捗／今後の見通し

### <米国>

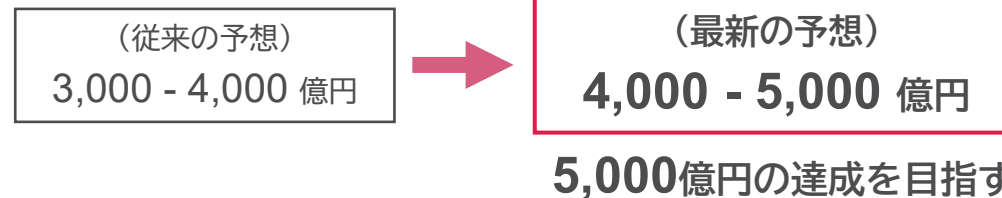
- ✓ 進捗は2Qに大きく上方修正した通期予想に沿った推移
  - 2023年4月に承認されたEV-103試験に基づくmUC一次治療 (Cis不適応)の浸透が大きく牽引
- ✓ 驚異的なスピードでEV-302試験に基づくmUC一次治療の追加適応 (Cis適応 + Cis不適応)の承認を2023年12月に取得、FDAの申請受理からわずか2週間で達成
  - EV-302試験の良好なデータの浸透と対象患者数の拡大により、2024年度以降に更なる売上成長を見込む

### <欧州>

- ✓ スペインをはじめ、新たに3カ国で保険償還が開始され、計13カ国で保険償還を獲得。今後も更なる売上拡大を見込む

## ピーク時売上予想のアップデート

- ✓ EV-302試験の従来 of 想定を上回る良好な結果を織り込み、売上予想をアップデート
- ✓ ピーク時売上予想の上方修正:



- ピーク時売上予想は、アステラスの売上ではなく、全体の製品売上で算出\*
- 開発初期段階の適応症は含まれない(NMIBC、その他固形がん)

(参考) Pfizer社との経済条件のイメージ

- ✓ グローバルで約50:50の利益配分になることを想定したスキーム

	Pfizer	アステラス
米州**	Pfizer社が売上を計上	粗利の50%をPfizer社から受け取る (パドセブ関連収入として製品売上に計上)
米州以外	粗利の50%をアステラスから受け取る	アステラスが売上を計上

注)地域により受取・支払の割合やスキームは異なる(利益折半もしくはロイヤリティ支払い)

通期予想は2023年11月に修正、\*Pfizer社が計上する米州の売上とアステラスが計上する米州以外の売上の合計値 \*\*米国、カナダ、ラテンアメリカ  
 mUC:転移性尿路上皮がん、Cis:シスプラチン、FDA:Food and Drug Administration(米国食品医薬品局)、NMIBC:筋層非浸潤性膀胱がん

# VEOZAHのビジネスアップデート

全体的な取り組みは進展しているものの、実需の拡大ペースが想定を下回る  
当初の想定より立ち上がりが遅れており、今年度の成長カーブのタイミングを見直したことで、通期予想を下方修正

1Q-3Q累計実績

修正予想

下方修正の要因

  
**VEOZAH™**  
(fezolinetant) tablets 45 mg

36 億円

71 億円

米国分  
(\$ベース)

\$25M

\$50M

- ✓ DTC活動の効果は見られるも、実需の拡大にインパクトを与えるには想定よりも時間がかかっている
- ✓ マーケットリサーチの結果から、想定以上に多くの医師が、現在の保険カバレッジの進捗に対して「カバレッジが不十分」と感じており、処方に対する障壁に繋がっている
- ✓ 上記の要因により、当初の想定より立ち上がりが遅れており、特に4Qから期待していた本格的な成長カーブのタイミングを見直しことによって、通期予想を下方修正

## <最新の状況>

### マーケット アクセス

- ✓ 保険カバレッジは約35%まで拡大
- ✓ 2023年度末には50%以上を見込む

### ターゲットリーチ

- ✓ DTC活動によって推定**5,600万人**の女性にリーチ

### 認知度

- ✓ 消費者: **53%増加** (9月:約15% vs. 12月:約25%)
- ✓ 医師: **40%増加** (9月:約50% vs. 12月:約70%)

### アクティベーション(意欲)

- ✓ 消費者: **70%**の女性がVEOZAHについて医師に相談したい「意向が強い」と回答 (10月から40%増加)
- ✓ 医師: **76%**の医師がVEOZAHの処方に「非常に意欲的」と回答 (9月から19%増加)

### DTC の効果\*

## <今後の取り組み/見通し>

- ✓ セールスフォースによるVEOZAHの製品啓発に加え、保険カバレッジの拡大進捗についても医師に積極的かつタイムリーな情報提供を推進
- ✓ 米国のスーパーボウルにてVEOZAHのテレビCMを放映
- ✓ 2024年度は、保険カバレッジの更なる拡大と投資活動によるインパクトを見込む
- ✓ 中長期およびピーク売上の見通しは、医師の「カバレッジが不十分」という認識の改善状況を踏まえて精査予定

## 欧州のアップデート

- ✓ 2023年12月の承認取得後、ドイツやイギリスをはじめ、現在計7カ国で発売

注)欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

\*マーケットリサーチ結果(2023年12月)、DTC:Direct-to-consumer



# IZERVAYのビジネスアップデート

米国での発売後、力強い立ち上がりを示し、今後の成長に自信が深まる進捗。2024年度は更なる成長を見込む

(億円)	1Q-3Q累計実績	通期予想
	<b>53</b>	<b>110</b>

## 発売以降の進捗

- ✓ J-Codeの適用前、かつラベルのアップデート前にも関わらず、発売後は力強い立ち上がりを示し、今後の成長に自信が深まる進捗
- ✓ 3Qまでに1.7万以上\*のバイアルを出荷、920以上の専門施設で採用（ターゲット施設の約70%）
- ✓ AAO 2023でのGATHER2試験の学会発表後に処方量が加速（非プロモーションデータ）
- ✓ 3Qのマーケットシェアは約20%と推定（出荷の数量データから算出）
- ✓ 安全性プロファイルはこれまでの臨床試験で得られた結果と同様

## DTC活動による認知度向上（2023年12月末）

- ✓ IZERVAYのDTC活動（ブランドキャンペーン）：
  - GA患者における製品認知度は55%に到達
- ✓ GAの疾患啓発活動：
  - 萎縮型AMD患者におけるGAの認知度は56%に到達



### 疾患啓発活動

エミー賞®を2度受賞した俳優 Eric Stonestreetによる、自身とGAの関わりを語った全国的なPR活動を展開(askaboutGA.com)

## 今後の見通し

- ✓ 今後のマイルストーンを達成することで、更なる成長を見込む
  - J-Codeは2024年4月から適用開始、実需の更なる増加に期待
  - ラベルのアップデートに関する承認は2024年度中を見込む

注) 画像は米国の疾患啓発活動に関するものであり、米国における視聴者のみを対象としている

\*臨床試験用のバイアルを除く。第2四半期決算で開示した数値(1万バイアル)は臨床試験用のバイアルを含む

GA: Geographic atrophy(地図状萎縮)、AMD: Age-related macular degeneration(加齢黄斑変性)、AAO: American Academy of Ophthalmology(米国眼科学会)

# 2023年度第3四半期業績：費用項目

販管費は、Iveric Bio社買収の影響およびVEOZAHへの投資により前年同期比で増加したものの、計画通りに使用

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	対通期予想 進捗率	
売上原価	3.0%減少	18.4% (前同-1.0 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	20.4%増加 (為替の影響を 除くと14.6%増加)	33.7% (前同+5.1 ppt)	72.9%	為替の影響を除く対前同：約+490億円 ✓ Iveric Bio社買収の影響(対前同：約+200億円) ✓ VEOZAH関連の費用増加(対前同：約+300億円) ✓ 成熟製品の費用削減(対前同：約-60億円)
研究開発費	5.0%増加 (為替の影響を 除くと1.6%増加)	18.2% (前同+0.5 ppt)	74.6%	Iveric Bio社買収の影響：約+80億円

# 2023年度通期業績予想 修正予想

- 売上収益: 下方修正
  - ✓ VEOZAHの進捗状況を反映し、通期予想を下方修正
  - ✓ 為替およびVEOZAH以外の製品売上は2Qで開示した通期予想から修正せず
- 営業利益: 下方修正
  - ✓ VEOZAH売上収益の下方修正に伴い、利益段階も下方修正
  - ✓ 費用の見直しにより、上記影響を一部軽減

(億円)	2023年度 通期予想*	2023年度 修正予想	差異	主な修正項目
売上収益	16,080	15,620	-460	VEOZAH下方修正: 533億円 → 71億円 (米国分: \$375M → \$50M)
販管費	7,370	7,310	-60	VEOZAH成長カーブの見直しに伴う、 投資タイミングの見直し
研究開発費	2,900	2,860	-40	IZERVAYの生産コスト(研究開発費)を 棚卸資産として認識する会計処理の適用
コア営業利益	1,990	1,640	-350	

## <フルベース>

営業利益	1,230	830	-400	
------	-------	-----	------	--

\*2023年11月に修正、為替レートの想定: 1ドル140円、1ユーロ152円

# 本日の内容

I  
2023年度第3四半期 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：概要

## XTANDIおよび重点戦略製品

- エンザルタミド / XTANDI : M0 CSPC\*適応追加承認(米国)
- エンホルツマブ ベドチン / パドセブ : 1L mUC適応追加承認(米国)、申請受理(欧州、日本)
- ゴルベツキシマブ : 審査完了報告通知(米国)
- fezolinetant / VEOZAH : 承認(欧州)、第Ⅲ相試験開始予定(日本)
- avacincaptad pegol / IZERVAY : ラベル改訂申請提出(米国)

## Focus Areaアプローチ

- 臨床試験進行中: ASP1570、ASP2138、ASP3082は2023年度中に第Ⅰ相試験の初期データ入手予定

## その他

- オープンイノベーション活動:  
つくば・柏の葉エリアでのオープンラボ活用、Mass General Brighamとの戦略的提携

VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

\*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、1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん

# 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	申請受理 (M0 CSPC*:欧州、M1 CSPC:中国) ★ 9月	承認 (M0 CSPC*:米国) ★ 11月
エンホルツマブ ベドチン/ パドセブ		EV-302試験TLR ★ 9月	申請受理 (1L mUC:米国) ★ 11月	承認 (米国) ★ 12月 申請受理 (1L mUC:欧州、日本) ★ 1月
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		審査完了報告通知(米国) ★ 1月
fezolinetant/ VEOZAH	承認(米国) ★ 5月	CHMP販売承認 勧告(欧州) ★ 10月	承認(欧州) ★ 12月	
avacincaptad pegol/ IZERVAY		承認(米国) 申請受理(欧州) ★ 8月	GATHER2試験 TLR(24カ月) ★ 9月	申請提出 (ラベル改訂:米国) ★ 1月

2024年2月時点

## <その他のアップデート>

- fezolinetant / VEOZAH: 日本第Ⅲ相試験 (STARLIGHT 2、STARLIGHT 3) を4Qに開始予定
- ギルテリチニブ / ゾスパタ: MORPHO試験に基づく急性骨髄性白血病における造血幹細胞移植後の維持療法としての開発を中止





VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

\*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、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

# 後期開発パイプラインの進展

四半期中に4製品で適応追加や新たな地域での承認を取得

	適応症	地域	
 Xtandi <sup>®</sup> (enzalutamide)	生化学的再発のリスクが高い M0 CSPC	米国	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 本適応症で承認された最初の新規ホルモン療法</li><li>✓ 単剤およびGnRH療法併用で承認取得</li></ul>
 PADCEV <sup>®</sup> enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials	局所進行性または転移性 尿路上皮がん (ペムブロリズマブ併用)	米国	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 数十年にわたり用いられている現在の標準治療に代わる新たな治療選択肢</li><li>✓ 驚異的な短期間での承認取得<ul style="list-style-type: none"><li>• EV-302試験のトップライン結果取得から3カ月</li><li>• 承認申請の受理から2週間</li></ul></li></ul>
 VEOZA <sup>™</sup> fezolinetant	閉経に伴う中等度から重度の 血管運動神経症状	欧州	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ ファーストインクラスの非ホルモン治療薬</li><li>✓ 各国共通のアンメットメディカルニーズに貢献する機会の拡大</li></ul>
 CRESEMBA <sup>®</sup> (isavuconazonium sulfate) 372 mg for injection 74.5 mg - 186 mg capsules	小児における 侵襲性アスペルギルス症 および侵襲性ムーコル症	米国	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 小児患者において高いアンメットメディカルニーズ</li><li>✓ 独占販売期間が6カ月間延長</li></ul>

VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

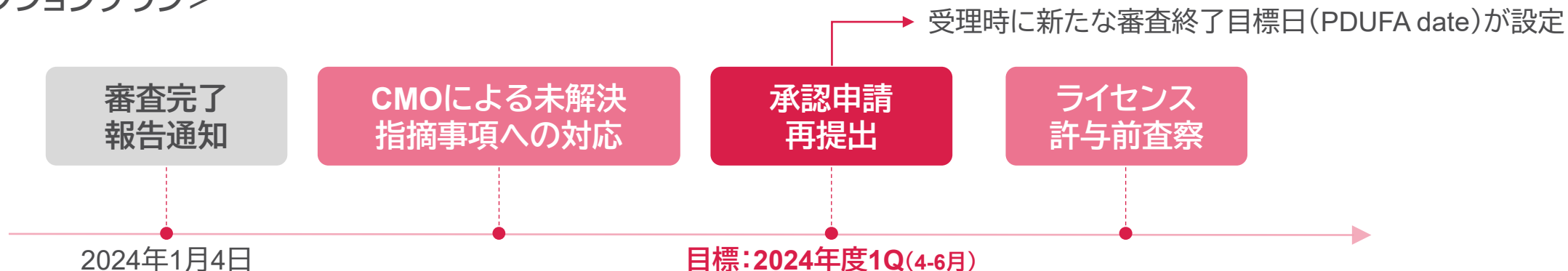
M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、GnRH: ゴナドトロピン放出ホルモン

# ゾルベツキシマブ：最新状況

## <FDA審査完了報告通知>

- 医薬品製造受託機関(CMO)の施設を査察した結果、未解決の指摘事項
- FDAは臨床試験結果に関連した懸念は表明しておらず、追加の臨床試験も要求していない

## <アクションプラン>



## <備考>

- 米国以外の各地域における承認申請の審査は計画通り進行中
  - ✓ 審査は独立して実施、規制当局毎に定められた異なる要件に基づき判断
- 他のアステラス製品への影響はない



# 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

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	第I相試験進行中
がん免疫	遺伝子調節(AAV)			
	チェックポイント	ASP1570	DGKζ阻害剤	第I相試験進行中、2023年度中に初期データ入手を予定
	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、2023年度中に初期データ入手を予定
		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、2023年度中に初期データ入手を予定
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:ペルオキシソ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

# オープンイノベーションの取り組み

ライフサイエンスエコシステムにおけるオープンイノベーションをグローバルで推進、早期の研究開発を加速

## 研究段階での活動

- アカデミアや企業との連携、ライフサイエンスエコシステムへの貢献を通じ、社外からのイノベーションの取り込みや共創に取り組む
- 取り組みの一環としてオープンラボを活用：  
つくば・柏の葉エリアでSakuLab™-Tsukuba、TME iLabでの活動が開始



### SakuLab™-Tsukuba



- ✓ アステラスつくば研究センターの敷地内に設立
- ✓ アカデミアやスタートアップが入居



### TME iLab

- ✓ がん微小環境のオープンイノベーション拠点

## 早期開発段階での活動

### Mass General Brigham

- 米国有数のバイオメディカル研究機関と5年間の戦略的提携
- トランスレーショナルリサーチ（橋渡し研究）を推進し、革新的な治療法の早期開発の加速を目指す
- 最初の対象はアステラスが注力する研究開発領域：  
がん、希少疾患、細胞医療・遺伝子治療
- 疾患やモダリティに対する理解の向上、臨床試験の最適化につながることを期待
- ボストンエリアのライフサイエンスエコシステムにおけるアステラスのプレゼンスを更に向上

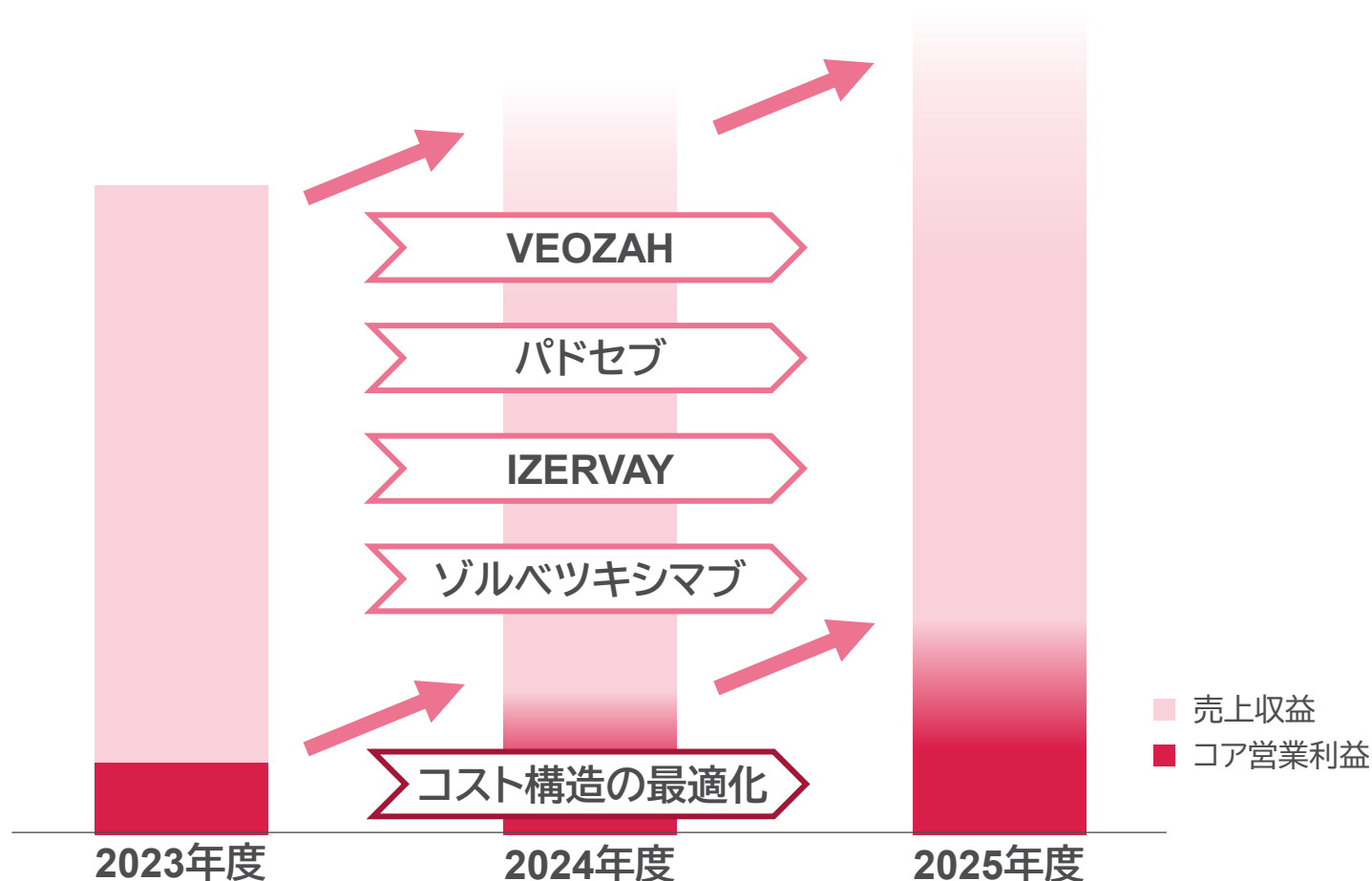


## 2023年度の進捗と今後の見通し

- 2023年度は新発売や追加適応取得など多くの重要なマイルストーンを達成
- VEOZAH・パドセブ・IZERVAYが主な成長ドライバーとして寄与することで、2024年度は増収増益を期待

### 将来成長に寄与する2023年度の主な進捗

- **VEOZAH**: 米国・欧州発売
- **パドセブ(1L mUC)**:  
EV-302試験における良好な結果取得、  
米国承認、欧州・日本申請
- **IZERVAY**: 米国発売、欧州申請、  
GATHER2試験における良好な追加  
データ取得
- **ゾルベツキシマブ**: グローバル申請



# APPENDIX



# 2023年度第3四半期業績：地域別売上収益

(億円)	2022年度 3Q実績	2023年度 3Q実績	増減率
日本	2,045	2,110	+3.2%
米国	5,011	4,814	-3.9%
エスタブリッシュドマーケット	2,722	3,063	+12.5%
グレーターチャイナ	652	673	+3.3%
インターナショナルマーケット	1,042	1,188	+14.0%

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3Q	2023年度3Q	変動
ドル	137円	143円	7円安
ユーロ	141円	155円	15円安

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益:588億円の増加、コア営業利益:138億円の増加

# 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

\*2023年11月に修正・公表

# 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12月末
総資産	24,565	33,687
現金及び現金同等物	3,768	2,540
親会社所有者帰属持分	15,080	15,033
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.4%	44.6%

(億円)	2022年度3Q	2023年度3Q
営業CF	2,122	1,005
投資CF	-618	-8,236
フリーCF	1,504	-7,231
財務CF	-911	5,831
短期借入金及びCPの増減額	-150	2,632
社債の発行及び長期借入れによる収入	500	4,716
自己株式取得	-106	-107
配当金支払額	-1,004	-1,167

2023年12月末時点 資金調達残高:8,710億円



# 主な無形資産一覧(2023年12月末時点)

	円貨(億円)	外貨*
AT132	153	USD 109M
AT845	102	USD 73M
その他遺伝子治療関連プログラム**	925	USD 656M
遺伝子治療関連技術**	681	USD 483M
VEOZAH	900	EUR 566M
エベレンゾ	214	-
ゾルバツキシマブ	640	EUR 493M
IZERVAY (米国)	7,026	USD 4,981M
IZERVAY (米国以外)	1,552	USD 1,100M

\* VEOZAHおよびゾルバツキシマブの外貨数字は無形資産取得時の通貨に基づく参考値

\*\* Audentes(現:Astellas Gene Therapies)買収時に取得

# キャピタルアロケーション

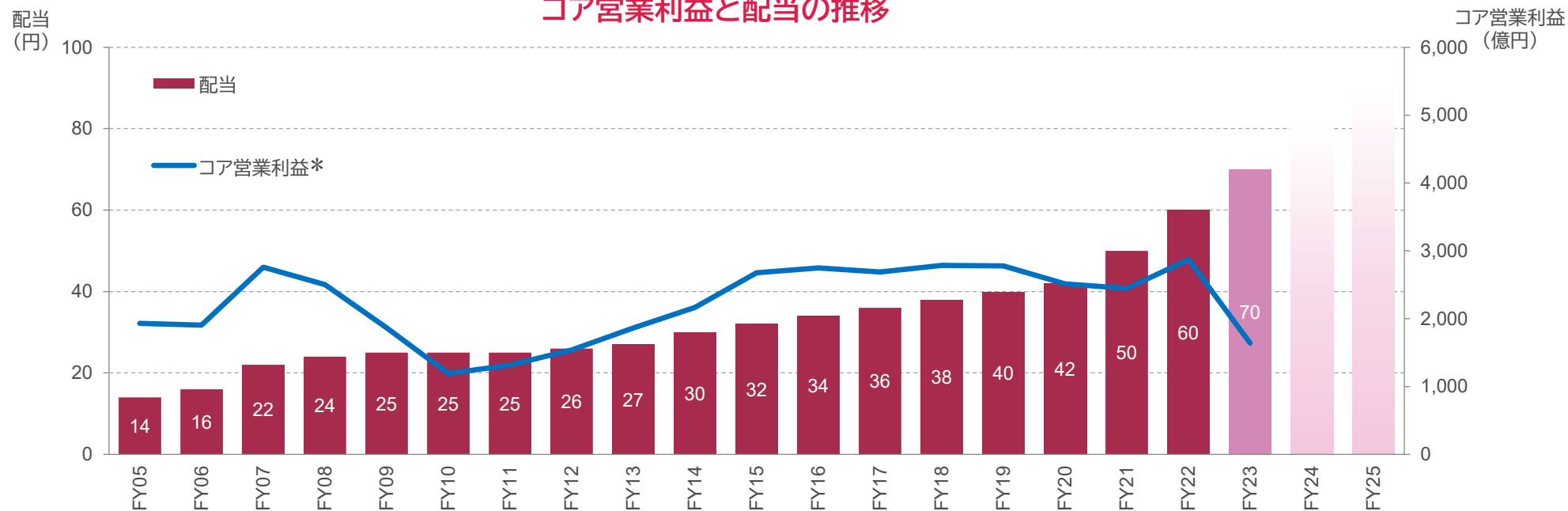
1 成長を実現するための  
事業投資を最優先

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

27

## 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

■ アビラテロンデカン酸エステル/  
PRL-02/ASP5541

## 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)

■ 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  
(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、日本)

■ 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\*:欧州、M1 CSPC:中国)

■ エンホルツマブ ベドチン  
(治療歴のないmUC:欧州、日本;  
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)

■ 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)

■ 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、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、mUC:転移性尿路上皮がん

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



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	• 中国で適応追加の承認申請が2023年9月に受理
	M0 CSPC(生化学的再発高リスク)	• <b>米国で適応追加の承認を2023年11月に取得</b> 。欧州で適応追加の承認申請が2023年9月に受理
エンホルツマブ ベドチン/ パドセブ	転移性尿路上皮がん	• <b>治療歴なし(一次治療):米国で適応追加の承認を2023年12月に取得</b> 。欧州と日本で適応追加の承認申請が <b>2024年1月に受理</b>
	筋層浸潤性膀胱がん	• 治療歴あり:中国で申請が2023年3月に受理
	筋層非浸潤性膀胱がん	• 第Ⅲ相試験進行中。 <b>第Ⅲ相EV-304試験の症例組み入れ終了</b>
	その他の種類の固形がん	• 第Ⅰ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	• 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)	• <b>第Ⅲ相MORPHO試験に基づく開発を中止</b>
	未治療AML(強力な化学療法適応)	• 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)	• 第Ⅰ相試験進行中
ゾルベツキシマブ	AML(化学療法後の維持療法)	• 第Ⅱ相GOSSAMER試験のトップライン結果を入手
	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	• 日本で承認申請が2023年6月に受理。欧州、中国で承認申請が2023年7月に受理。 <b>米国で審査完了報告通知を2024年1月に受領</b>
fezolinetant/ VEOZAH	膵臓腺がん	• 第Ⅱ相試験進行中
	閉経に伴う血管運動神経症状	• <b>欧州:2023年12月に承認取得</b> • 中国:第Ⅲ相MOONLIGHT 1試験およびMOONLIGHT 3試験のトップライン結果を入手 • <b>日本:第Ⅲ相試験を2023年度4Qに開始予定</b>
avacincaptad pegol/ IZERVAY	地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性	• 欧州で承認申請が2023年8月に受理。 <b>米国でラベル改訂の承認申請を2024年1月に提出</b>
	Stargardt病	• 第Ⅱb相試験進行中

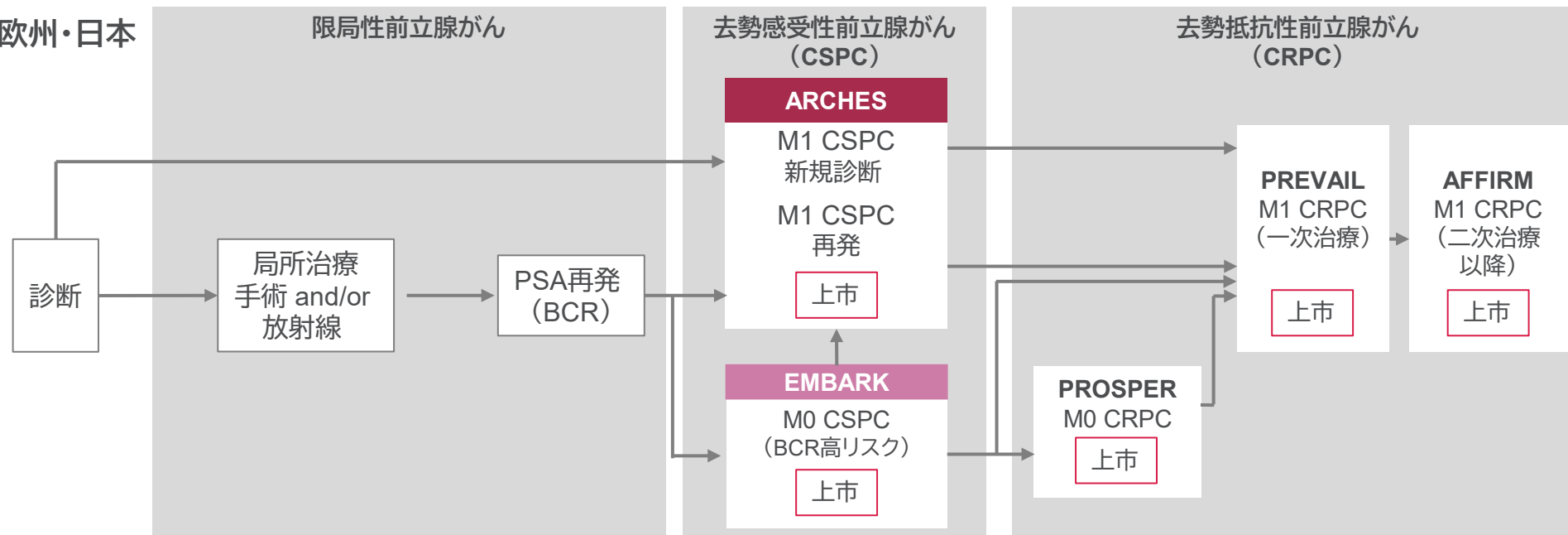
VEOZAH:欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

M1:転移性、M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、AML:急性骨髄性白血病

# 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11月に米国で適応追加の承認を取得  
2023年9月に欧州で適応追加の承認申請が受理

中国 • M1 CSPC: 2023年9月に適応追加の承認申請が受理

# 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

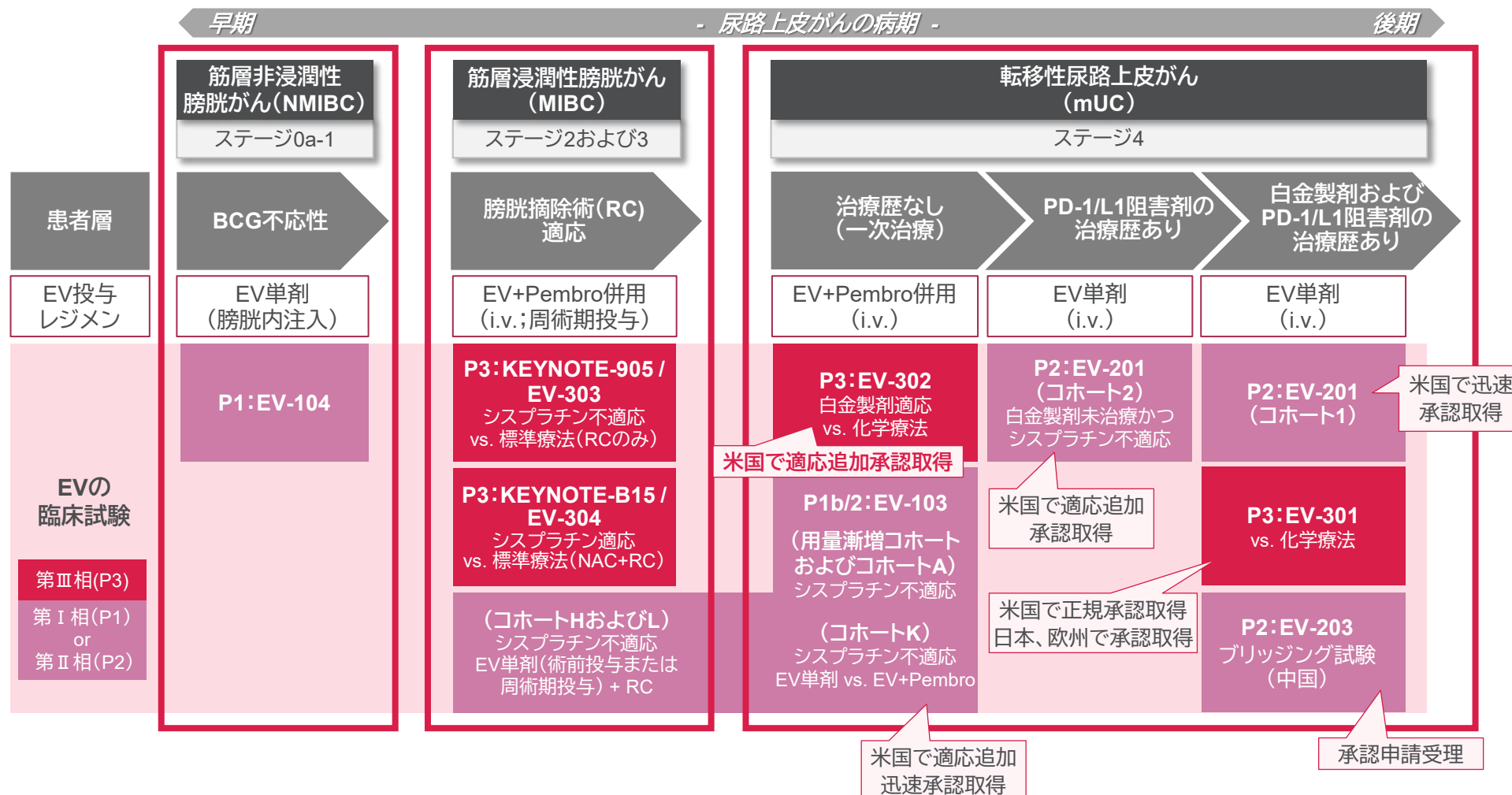
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

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

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)





# 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	<a href="#">NCT03474107</a>	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	<a href="#">NCT04223856</a>	治療歴がなく白金製剤適応のmUC;EV + Pembro vs. 化学療法	n=990	<b>2023年12月に米国で適応追加の承認取得</b> <b>2024年1月に欧州と日本で適応追加の承認申請が受理</b>
第Ⅲ相:EV-303 /KEYNOTE-905	<a href="#">NCT03924895</a>	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	<a href="#">NCT04700124</a>	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	<b>症例組み入れ終了</b>
第Ⅱ相:EV-201	<a href="#">NCT03219333</a>	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月に米国で適応追加の承認取得
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	<a href="#">NCT03288545</a>	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=348	コホートKおよび他コホート:2023年4月に米国で適応追加の 迅速承認取得 症例組み入れ終了
第Ⅱ相:EV-203	<a href="#">NCT04995419</a>	<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	<a href="#">NCT05014139</a>	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	<a href="#">NCT04225117</a>	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

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	<b>KN-B15 / EV-304</b>	<b>KN-905 / EV-303</b>	<b>EV-302</b>	<b>EV-103</b> コホートK	<b>EV-103</b> コホートA & 用量漸増コホート	<b>EV-201</b> コホート2	<b>EV-201</b> コホート1	<b>EV-301</b>	
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

# 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/開発後期段階> (ピーク時売上予想に織込済)

患者層		ピポタル試験 (EV用法)	申請目標時期	対象患者数*
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)	承認取得済 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 (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> (ピーク時売上予想に未織込)

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:

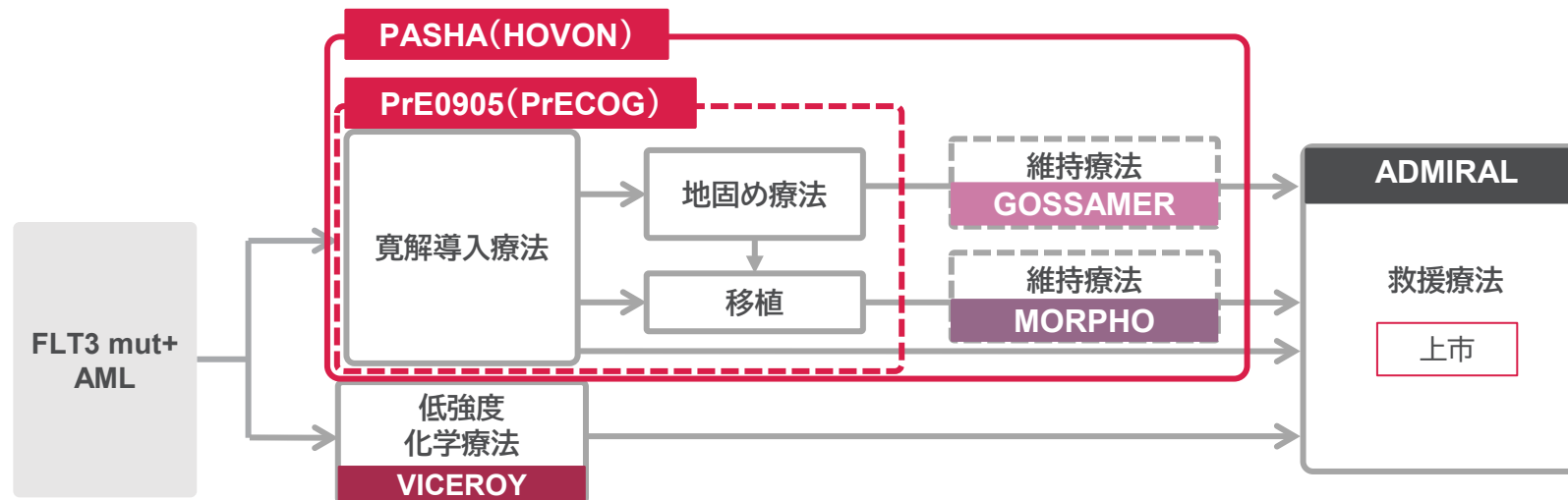
ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん  
トリプルネガティブ乳がん  
扁平上皮非小細胞肺癌  
非扁平上皮非小細胞肺癌  
頭頸部がん  
胃腺がん・食道腺がんまたは食道胃接合部腺がん  
食道扁平上皮がん

\*\*Pembro併用:

頭頸部扁平上皮がん

# ギルテリチニブ: FLT3阻害剤

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)



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	<b>MORPHO試験に基づく開発を中止</b>
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

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

## 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	<a href="#">NCT03504397</a>	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月に欧州、中国で承認申請が受理
	第Ⅲ相: GLOW	<a href="#">NCT03653507</a>	一次治療、CAPOXとの併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=507	<b>2024年1月に米国で審査完了報告通知を受領</b>
	第Ⅱ相: ILUSTRO	<a href="#">NCT03505320</a>	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 <b>コホート5:周術期、FLOTとの併用</b>	<b>n=143</b>	FSFT:2018年9月
膵臓腺がん	第Ⅱ相	<a href="#">NCT03816163</a>	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<sup>1</sup>

Women's Health Initiative(WHI)の臨床研究<sup>2</sup>

- 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いまだ一定数存在する

## 米国および欧州

第Ⅲ相: SKYLIGHT 1	<a href="#">NCT04003155</a>	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)	n=527	2023年5月に米国で承認取得 <b>2023年12月に欧州で承認取得</b>
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	<a href="#">NCT04003142</a>	40週: 実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=501	
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	<a href="#">NCT04003389</a>	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	<a href="#">NCT05033886</a>	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月にトップライン結果を入手

## 中国

第Ⅲ相: MOONLIGHT 1	<a href="#">NCT04234204</a>	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)
第Ⅲ相: MOONLIGHT 3	<a href="#">NCT04451226</a>	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

第Ⅲ相: STARLIGHT 2	<a href="#">NCT06206408</a>	閉経に伴う軽度から重度のVMSを有する患者 12週: 二重盲検、2用量 vs. プラセボ(1:1:1)	n=390	2023年度4Qに開始予定
第Ⅲ相: STARLIGHT 3	<a href="#">NCT06206421</a>	閉経に伴うVMSを有する患者 52週: 二重盲検、vs. プラセボ(1:1)	n=260	2023年度4Qに開始予定

# 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(Geographic Atrophy: GA)

- 萎縮型加齢黄斑変性の進行に伴い発症
- 全世界で約500万人が少なくとも片目にGAを発症<sup>1</sup>
- 米国でGAを患っている人の約75%は未診断<sup>2</sup>
- 適切なタイミングでの治療がなければ、GA患者の推定66%が失明または重度の視覚障害になる可能性<sup>3</sup>

## 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	<a href="#">NCT02686658</a>	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月に欧州で承認申請が受理 <b>2024年1月に米国でラベル改訂の承認 申請を提出</b>
	第Ⅲ相: GATHER2	<a href="#">NCT04435366</a>	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	<a href="#">NCT03364153</a>	vs. 対照群	n=120	FSFT: Jan 2018

1. Retina 37:819-835 (2017). 2. IQVIA Medical Claims (DX) data Jan '20-Dec '21: 24 Months. 3. JAMA Ophthalmol 139:743-750 (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	
		初期データ入手*	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

