

# 2024年度第1四半期決算概況



2024年8月1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ることや、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 2024年度第1四半期 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

# 2024年度第1四半期決算：概要

## 2024年度期初予想の達成に向けて**堅調なスタート**

### 売上収益

- 前年同期比で**増収(+26%)**
- XTANDI: 売上収益の拡大に貢献、特に米国が牽引
- 重点戦略製品: 全体で**750億円**まで拡大、対前同で約**+500億円**と力強く成長(**3倍増**)

### 費用項目

- 販管費および研究開発費: 将来成長に向けて計画通り投資
- ROIを意識した投資の見直しにより、タイムリーに費用管理を実施

### コア営業利益

- XTANDIおよび重点戦略製品の拡大が大きく貢献し、前年同期比で**増益**

# 2024年度第1四半期業績

(億円)	2023年度 1Q実績	2024年度 1Q実績	増減額	増減率	2024年度 期初予想*	為替の影響(前年同期比)
売上収益	3,750	4,731	+981	+26.2%	16,500	+454
売上原価	689	911	+222	+32.2%	3,260	+61
販管費	1,682	2,069	+387	+23.0%	7,570	+208
内、米国XTANDI共同販促費用	446	616	+170	+38.2%	1,890	+73
上記を除く販管費	1,236	1,453	+217	+17.5%	5,680	+135
研究開発費	646	868	+222	+34.4%	3,170	+69
コア営業利益**	733	883	+150	+20.5%	2,500	+116
<b>&lt;フルベース&gt;</b>						
無形資産償却費	91	350	+259	+285.9%		2023年度2QからIZERVAYの 無形資産償却を開始
その他の収益	39	49	+10	+25.2%		主なその他の費用 ・ 主に為替の変動による ゾルバツキシマブの条件付対価の 公正価値増加: 55
その他の費用	231	104	-127	-55.0%		
営業利益	458	507	+49	+10.6%	480	
税引前四半期利益	468	505	+36	+7.8%	430	
四半期利益	331	376	+45	+13.5%	300	

\* 2024年4月公表、期初予想の為替レート:1ドル145円、1ユーロ155円。2024年度1Qの為替レート(実績):1ドル156円、1ユーロ168円





\*\* 2024年度からコアベース業績の定義を変更。従来の調整項目に加え、「無形資産償却費」、「無形資産譲渡益」、「持分法による投資損益」を新たな調整項目として除外。  
2023年度1Q実績は当該変更を反映

# 2024年度第1四半期業績：XTANDIおよび重点戦略製品

XTANDIは特に米国が牽引し、全体の売上拡大に貢献

(億円)	2024年度1Q実績	前年同期比	期初予想*	
 Xtandi®	2,242	+502 (+29%)	7,570	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 米国の進捗が想定を上回り、グローバル売上は好調なスタート</li> <li>✓ 米国：物量の伸長が期待以上 EMBARCの追加適応(M0 CSPC)とその波及効果、市場成長が貢献</li> </ul>

重点戦略製品は全体で**750億円**まで拡大。対前同で約**+500億円**と力強く成長**(3倍増)**

(億円)	2024年度1Q実績	前年同期比	期初予想*	
 PADCEV™	384	+232 (+152%)	1,512	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバル売上は前年同期から大きく拡大 特に米国の1L mUCの市場浸透とESTの2L+ mUCの物量増加が貢献</li> <li>✓ 2Q以降も四半期ごとの継続成長を見込む</li> </ul>
 izervay™	127	+127	464	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ J-Codeの適用開始後(4月)、想定を上回るスピードで成長 安全性プロファイルは引き続きこれまでの臨床試験で得られた結果と同等</li> <li>✓ 1Qの進捗は期待以上、期初予想の上振れを期待</li> </ul>
 VEOZAH™	66	+60 (+972%)	283	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 期初予想に沿って着実に拡大</li> <li>✓ 保険カバレッジやDTCなどの全体的な取り組みは想定通りに進捗</li> </ul>
 VYLOY™	3	+3	37	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 6月に日本で発売、ターゲット医師の大半に面談</li> <li>✓ 採用施設数およびCLDN18.2検査の浸透は堅調</li> </ul>
 XOSPATA®	173	+43 (+33%)	600	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 発売している全ての地域で売上が拡大</li> <li>✓ 2Q以降も着実な成長を見込む</li> </ul>

\*2024年4月公表、期初予想の為替レート：1ドル145円、1ユーロ155円。2024年度1Qの為替レート(実績)：1ドル156円、1ユーロ168円

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、2L+:二次治療以降、DTC:Direct-to-consumer、CLDN18.2: Claudin 18.2

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得、EST(エスタブリッシュドマーケット):欧州、カナダ等

# PADCEV、VEOZAHのビジネスアップデート



米国とESTが牽引し、売上は大きく拡大。今後も更なる売上貢献を期待

	2024年度1Q実績	前年同期比
グローバル売上	<b>384 億円</b>	<b>+232 (+152%)</b>
米国 (\$ベース)	<b>\$174M</b>	<b>+98 (+128%)</b>
EST (€ベース)	<b>€45M</b>	<b>+29 (+178%)</b>
日本・チャイナ・INT	<b>37 億円</b>	<b>+14 (+60%)</b>

前四半期比 (vs. 23年度4Q): **+86 億円 (+29%)**

<米国>

✓ 1L mUCのシェア拡大が成長に大きく貢献、新患シェアは50%以上

<米国外>

✓ 2L+ mUCの物量は力強く拡大、特にESTが貢献

✓ 発売国は38カ国まで拡大し、17カ国にて保険償還を獲得

✓ 1L mUCの承認は順次2Q以降に見込み、承認後の売上貢献に期待



売上は期初予想に沿って着実に拡大。2Q以降もリニアな成長を見込む

	2024年度1Q実績	前年同期比
グローバル売上	<b>66 億円</b>	<b>+60 (+972%)</b>
米国 (\$ベース)	<b>\$39M</b>	<b>+35 (+778%)</b>
EST (€ベース)	<b>€3M</b>	<b>+3</b>

前四半期比 (vs. 23年度4Q): **+29 億円 (+77%)**

<米国>

✓ 民間保険カバレッジは想定通りに拡大(60%以上)

✓ ROIを意識したDTCを展開、患者のアクティベーション(治療意欲)も向上

<米国外>

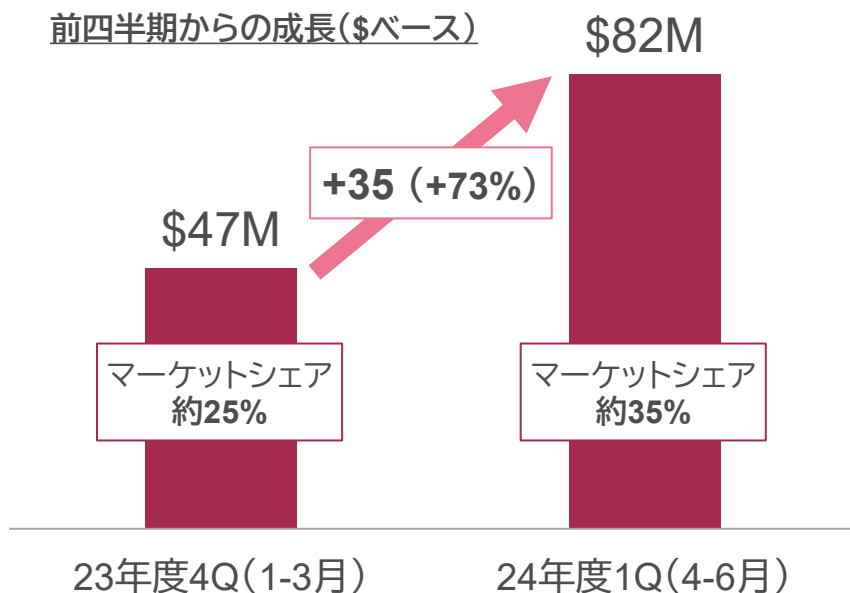
✓ 発売国は13カ国まで拡大(23年度4Qから+5カ国)

# IZERVAYのビジネスアップデート(米国)

期初予想を上回る推移、特にJ-Codeによる物量拡大が期待以上。安全性プロファイルに対する医師の評価も高い

	2024年度1Q実績	前年同期比
	127 億円	+127
米国 (\$ベース)	\$82M	+82

前四半期からの成長(\$ベース)



前四半期比 (vs. 23年度4Q): **+59 億円 (+86%)**

## <1Qの進捗>

- ✓ J-Codeの適用開始後(4月)の進捗は期待以上、多くの新規施設での採用を促進
- ✓ 1,200以上の専門施設で採用
- ✓ 1Q単体(4-6月)のマーケットシェアは**約35%**と推定(市場調査から算出)
- ✓ 発売から8.5万以上のバイアルを出荷(1Q時点、臨床試験用を除く)
  - 7月に**10万バイアル**を突破
- ✓ 市販後の安全性プロファイルは、引き続きこれまでの臨床試験で得られた結果と同等
- ✓ 新たな安全性シグナルはなく、IZERVAYを選択する際の医師の信頼度が向上

## <今後の見通し>

- ✓ 1Qの進捗は想定を上回る推移、期初予想の上振れを期待
- ✓ 24カ月の有効性と安全性、および隔月投与のデータを含む2年間の臨床試験データ(GATHER 2 Year 2)に基づき、3Qまでにラベルの改訂を見込む(PDUFA date: 11月19日)



# 2024年度第1四半期業績：費用項目

- 販管費および研究開発費：将来成長に向けて計画通り投資
- ROIを意識した投資の見直し(主にVEOZAH)により、タイムリーに費用管理を実施

コアベース：主要な費用項目の前年同期比較と対売上収益比率

費用項目	前年同期比	対売上収益比率	(億円)
売上原価	32.2%増加	19.3% (前同 +0.9ppt)	米国mirabegron在庫の除却引当、ロイヤリティ過年度調整等、一過性の要因により対前同で増加
販管費 米国XTANDI共同 販促費用を除く	17.5%増加 (為替の影響を 除くと6.6%増加)	30.7% (前同 -2.3ppt)	為替の影響を除く対前同：約+80 <ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 重点戦略製品(主にIZERVAY・VEOZAH)の販促費用(対前同：約+120)</li> <li>✓ 成熟製品の費用削減(対前同：約-40)</li> <li>✓ 前年度実施したグローバル組織改革(対前同：約-20)</li> </ul>
研究開発費	34.4%増加 (為替の影響を 除くと23.6%増加)	18.4% (前同 +1.1ppt)	為替の影響を除く対前同：約+150 <ul style="list-style-type: none"> <li>✓ Primary FocusやR&amp;D機能強化(対前同：約+70)</li> <li>✓ 一過性の共同開発費用支払い</li> </ul>

# 本日の内容

I 2024年度第1四半期 連結業績

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：2024年度に期待される主なイベント

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)
エンザルタミド/ XTANDI	★ 6月	承認(M1 CSPC:中国)		
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		★ CHMP販売承認勧告 (1L mUC:欧州) 当局判断 (2L+ mUC:中国)	当局判断 (1L mUC:日本)	
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	★ 再申請受理 (米国) 5月	★ CHMP販売承認勧告 (欧州) 7月	審査終了目標日 (米国) 11月	当局判断 (中国) TLR* (膵臓がん)
avacincaptad pegol/ IZERVAY			審査終了目標日 (ラベル改訂:米国) 11月	当局判断 (欧州)

➤ 当局判断  
➤ 申請  
➤ データ判明

## <その他のアップデート>

- ゾルベツキシマブ/ VYLOY:免疫チェックポイント阻害剤および化学療法との併用を評価する第Ⅲ相試験を2025年前半に開始予定

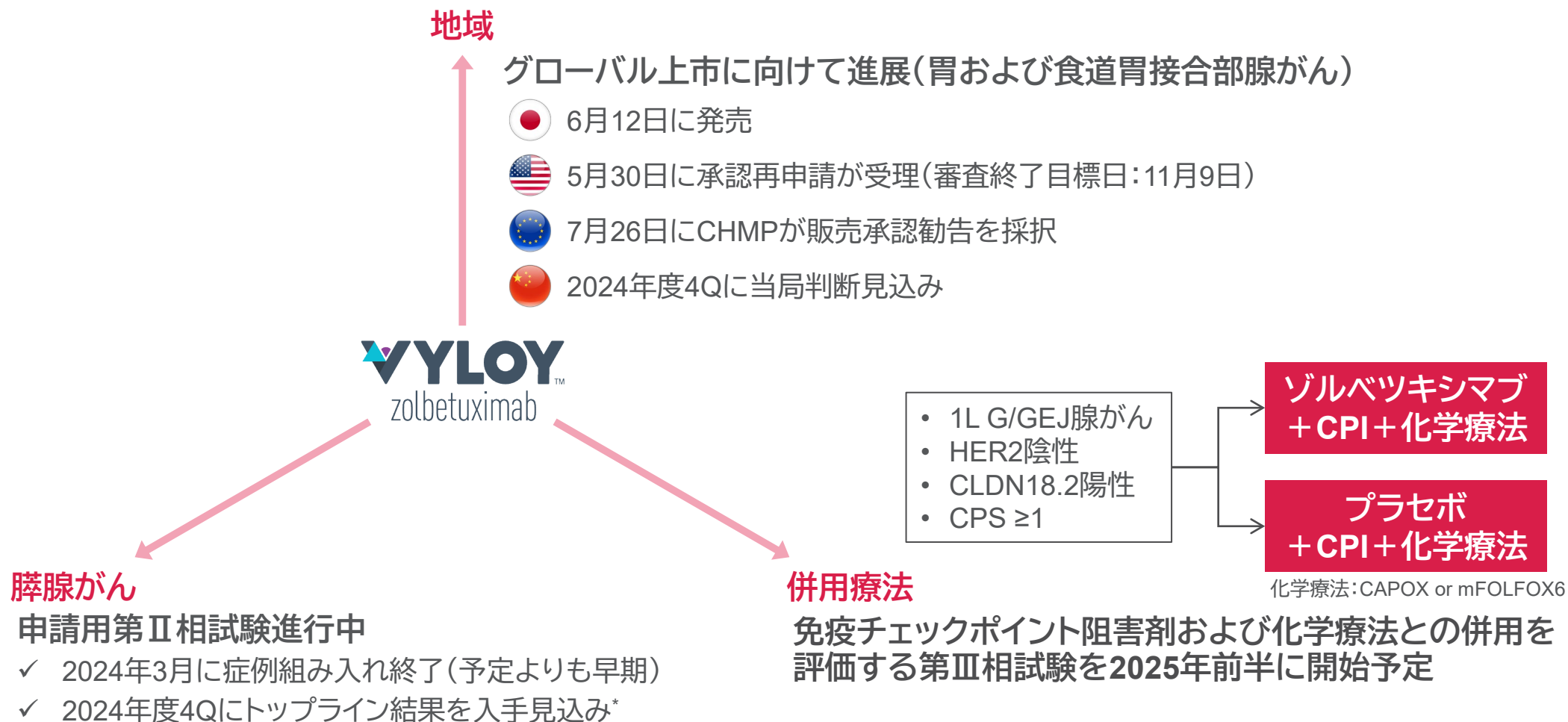
2024年7月時点

\*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

M1:転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、2L+:二次治療以降、mUC:転移性尿路上皮がん、1L:一次治療、CHMP:欧州医薬品委員会、TLR:トップライン結果

# ゾルベツキシマブ / VYLOY: 最新状況

ファーストインクラスの抗CLDN18.2療法として製品価値最大化を追求



\*トップライン結果入手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

CLDN18.2: Claudin 18.2、CHMP: 欧州医薬品委員会、1L: 一次治療、G/GEJ: 胃/食道胃接合部、CPS: Combined positive score、CPI: 免疫チェックポイント阻害剤、Chemo: 化学療法、CAPOX: カペシタビン+オキサリプラチン、mFOLFOX6: 5-FU+ロイコボリン+オキサリプラチン

# 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

(青字: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
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 初期データを2024年9月のESMOで発表予定
	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 FDAからオーファンドラッグ指定を2024年6月に取得 (膵臓がん)
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)	ASP1002 ●	抗Claudin 4/抗CD137	第 I 相試験進行中
	がん細胞医療	ASP1012 ●	レプチン-IL-2	第 I 相試験の最初の症例への投与を2024年5月に達成
		ASP2802 ●	CD20 convertible CAR-T(自家細胞)	第 I 相試験を2024年度2Qに開始予定
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、用量拡大コホート開始 初期データを2024年9月のESMOで発表予定
		ASP4396 ●	KRAS G12D分解	第 I 相試験進行中
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
		ASP2016 ●	FXN遺伝子	第 I 相試験を2024年度3Qに開始予定
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
免疫ホメオスタシス(PF候補)	免疫調節	ASP5502 ●	STING阻害剤	第 I 相試験を2024年度2Qに開始予定
その他(PF以外)	アビラテロン長時間作用型プロドラッグ	PRL-02 ●	CYP17リアーゼ阻害剤	第 I 相試験進行中

モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞

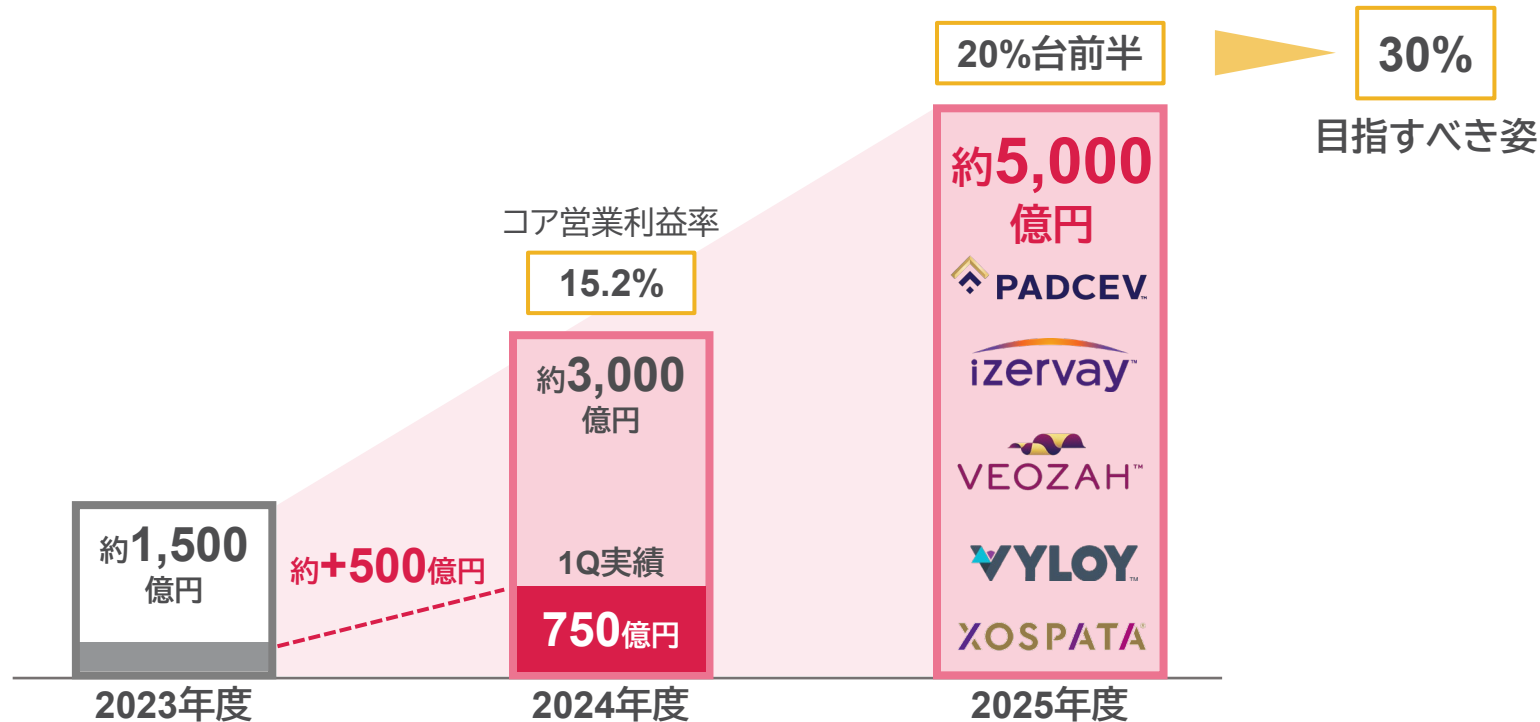
DGK: ジアシルグリセロールキナーゼ、ESMO: 欧州臨床腫瘍学会、FDA: 米国食品医薬品局、IL-2: インターロイキン-2、CAR: キメラ抗原受容体、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、AAV: アデノ随伴ウイルス、MTM1: ミオチューブラリン1、GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、FXN: フラタキシン、PF: Primary Focus、STING: Stimulator of interferon genes

# 2024年度第1四半期の進捗

2024年度期初予想の達成に向けて堅調なスタート

## 主な進捗

- 重点戦略製品は主にPADCEVとIZERVAYが牽引し、力強く成長
- PADCEV欧州CHMP販売承認勧告(1L mUC)
- VYLOY日本発売、米国再申請受理、欧州CHMP販売承認勧告
- ASP3082、ASP1570の初期臨床データ発表受理(ESMO)



**PFリードプログラムのPoC見極め**  
がん免疫: ASP2138、標的タンパク質分解誘導: ASP3082、  
遺伝子治療: AT845、再生と視力の維持・回復: ASP7317

# 參考資料



# XTANDIおよび重点戦略製品：ピーク時売上予想(2024年7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
PADCEV (エンホルツマブ ベドチン) <sup>*</sup>	4,000 - 5,000
IZERVAY (avacincaptad pegol)	2,000 - 4,000
VEOZAH (fezolinetant)	1,500 - 2,500
VYLOY (ゾルベツキシマブ)	1,000 - 2,000
XOSPATA (ギルテリチニブ)	1,000 - 2,000

ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2024年7月時点)、VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

\*アステラスの売上ではなく、全体の製品売上で算出(米州については、パートナーのPfizer社が計上する売上を用いて算出)



# 為替レート(実績)

## 期中平均レート

通貨	2023年度1Q	2024年度1Q	変動
ドル	137円	156円	19円安
ユーロ	150円	168円	18円安

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益:454億円の増加、コア営業利益:116億円の増加

# 2024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	2024年度予想	変動
ドル	145円	145円	-
ユーロ	157円	155円	2円高

業績予想前提と比較して1円安となった場合の通期業績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61億円増加	約3億円増加
ユーロ	約30億円増加	約12億円増加

# 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)	2024年3月末	2024年6月末
総資産	35,696	37,355
現金及び現金同等物	3,357	3,029
親会社所有者帰属持分	15,960	16,764
親会社所有者帰属持分比率(%)	44.7%	44.9%

(億円)	2023年度1Q	2024年度1Q
営業CF	122	126
投資CF	-123	-393
フリーCF	-1	-267
財務CF	1,650	-119
短期借入金及びコマーシャル・ペーパーの増減額	2,340	718
社債の償還及び長期借入金の返済による支出	-	-67
自己株式取得	-107	-70
配当金支払額	-539	-628

# 資金調達残高のハイライト

(億円)	2024年3月末	2024年6月末
資金調達残高	9,200	9,927
非流動負債	4,477	4,431
社債	2,500	2,500
長期借入金	1,977	1,931
流動負債	4,723	5,496
コマーシャル・ペーパー	2,850	3,257
短期借入金	1,354	1,704
1年以内返済予定の長期借入金	519	535

# 主な無形資産一覧(2024年6月末時点)

	円貨(億円)	外貨*
AT132	175	\$109M
AT845	117	\$73M
その他遺伝子治療関連プログラム**	611	\$380M
遺伝子治療関連技術**	741	\$461M
VEOZAH	979	€545M
EVRENZO	41	-
VYLOY	636	€489M
IZERVAY (米国)	7,520	\$4,676M
IZERVAY (米国外)	1,769	\$1,100M

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

\*VEOZAHおよびVYLOY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

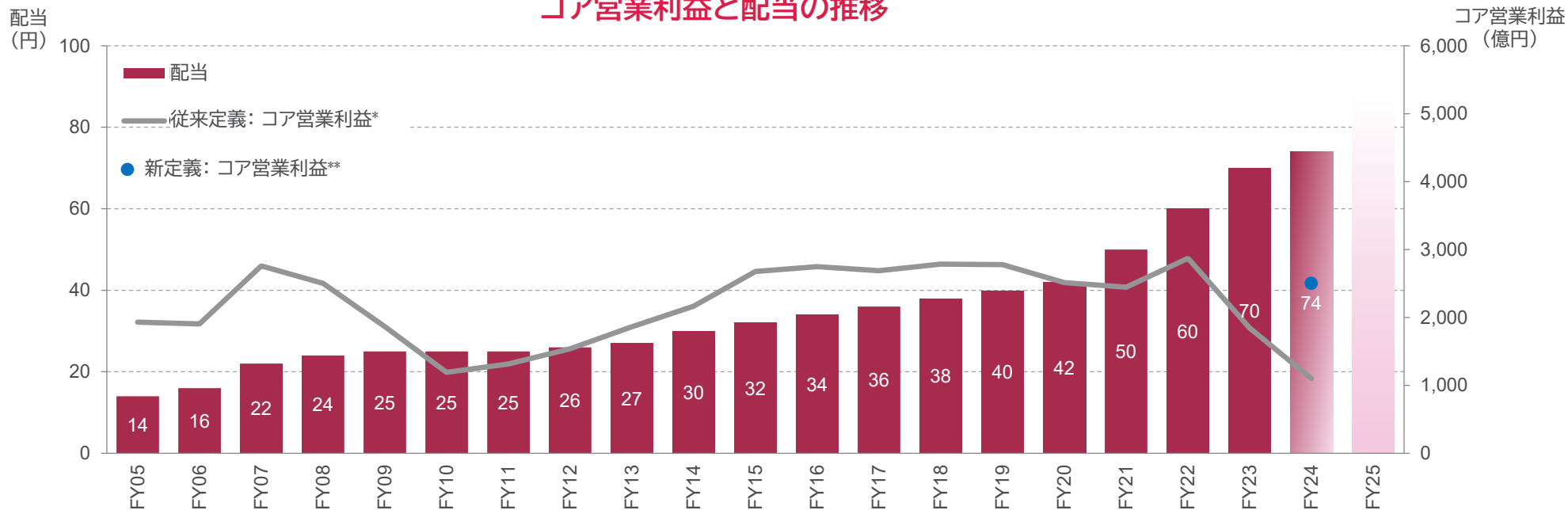
1 成長を実現するための  
事業投資を最優先

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



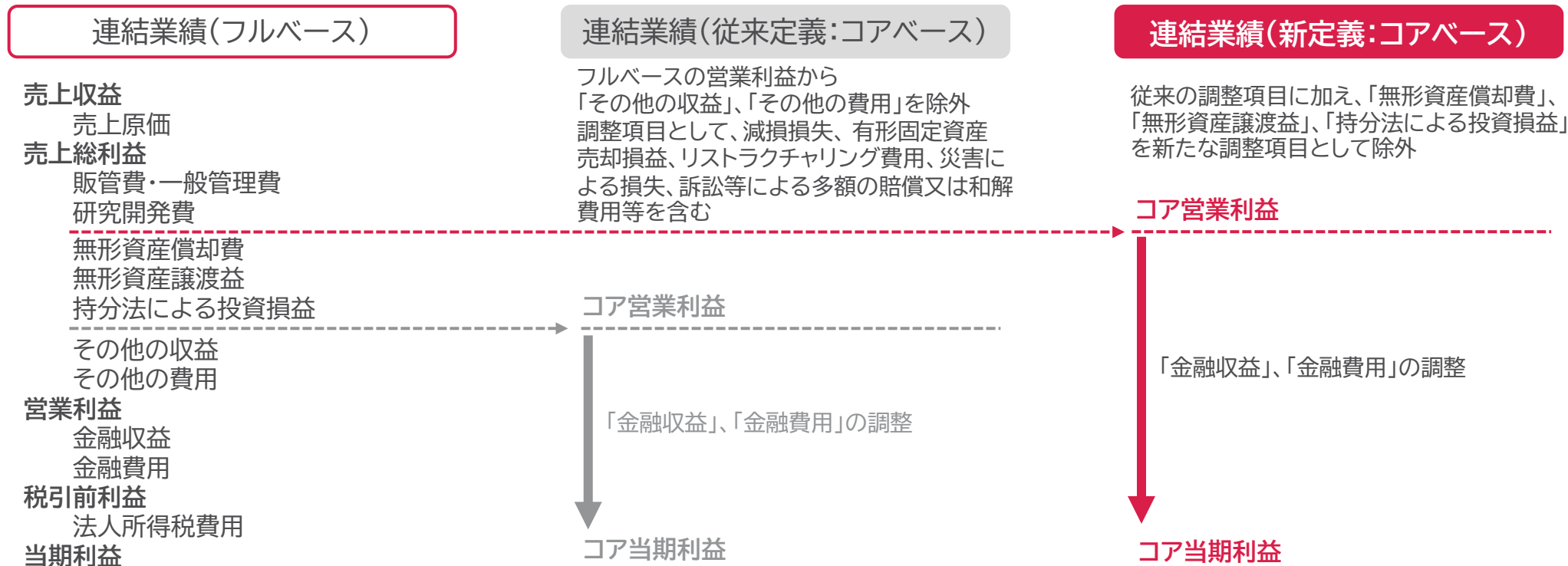
イメージ図

\*2012年度(2013年3月期)以前は、日本基準の営業利益

\*\*2024年度からコアベース業績の定義を変更

# コアベース業績：定義の変更内容

2024年度から新たなコアベース業績の定義を導入



# エンホルツマブ ベドチン(EV): 尿路上皮がん以外の固形がんにおける臨床試験データ(EV-202)

コホート	がん種	n	客観的奏効率(ORR)	
			目標*	結果
1	ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん	45	30%	<b>15.6%</b>
2	トリプルネガティブ乳がん	42	25%	<b>19.0%</b>
3	扁平上皮非小細胞肺がん	23	17.5%	<b>4.3%</b>
4	非扁平上皮非小細胞肺がん	43	25%	<b>16.3%</b>
5	頭頸部がん	46	17.5%	<b>23.9%</b>
7	食道胃接合部腺がんを含む 胃および食道腺がん	42	17.5%	<b>9.5%</b>
8	食道扁平上皮がん	44	17.5%	<b>18.2%</b>
9	頭頸部扁平上皮がん(一次治療)	進行中		

コホート1-8:二次治療以降、単剤

コホート9:一次治療、ペムブロリズマブ併用

\*「有望な抗腫瘍効果がある」と判断するのに必要な奏効率



# 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

ASP1002

ASP1012

ASP2802

ASP3082

ASP4396

zocaglusagene nuzaparvovec/  
AT845

ASP2016

ASP7317

ASP5502

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)

ゾルバツキシマブ  
(膵腺がん)

avacincaptad pegol  
(Stargardt病)

resamirigene bilparvovec/  
AT132 (XLMTM)

## 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VMS:中国、日本;補助内分泌  
療法中の乳がん患者におけるVMS)

ゾルバツキシマブ  
(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん、  
CPIおよび化学療法併用)

ミラベグロン  
(神経因性排尿筋過活動、  
小児(6カ月以上3歳未満):欧州)

ロキサデュスタット  
(慢性腎臓病に伴う貧血、小児:欧州)

## 申請

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

ゾルバツキシマブ  
(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん、  
化学療法併用:米国、欧州、中国)

avacincaptad pegol  
(地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性:欧州)

ミラベグロン  
(神経因性排尿筋過活動、  
小児(3歳以上18歳未満):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

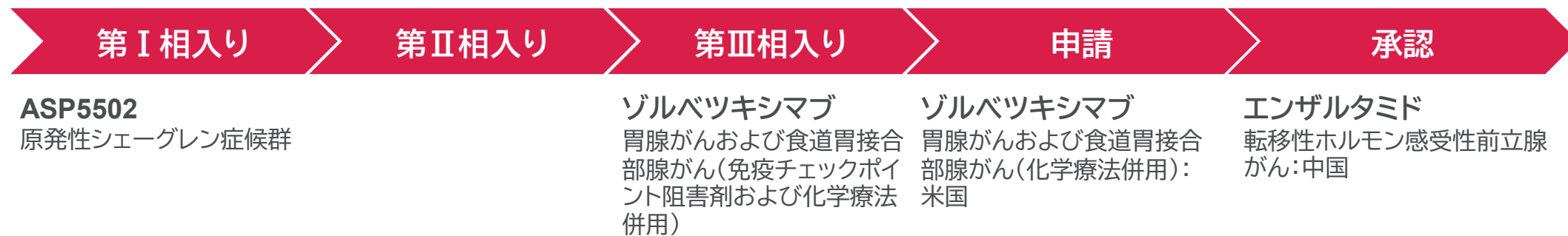
■ Focus Areaアプローチ

■ その他

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

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

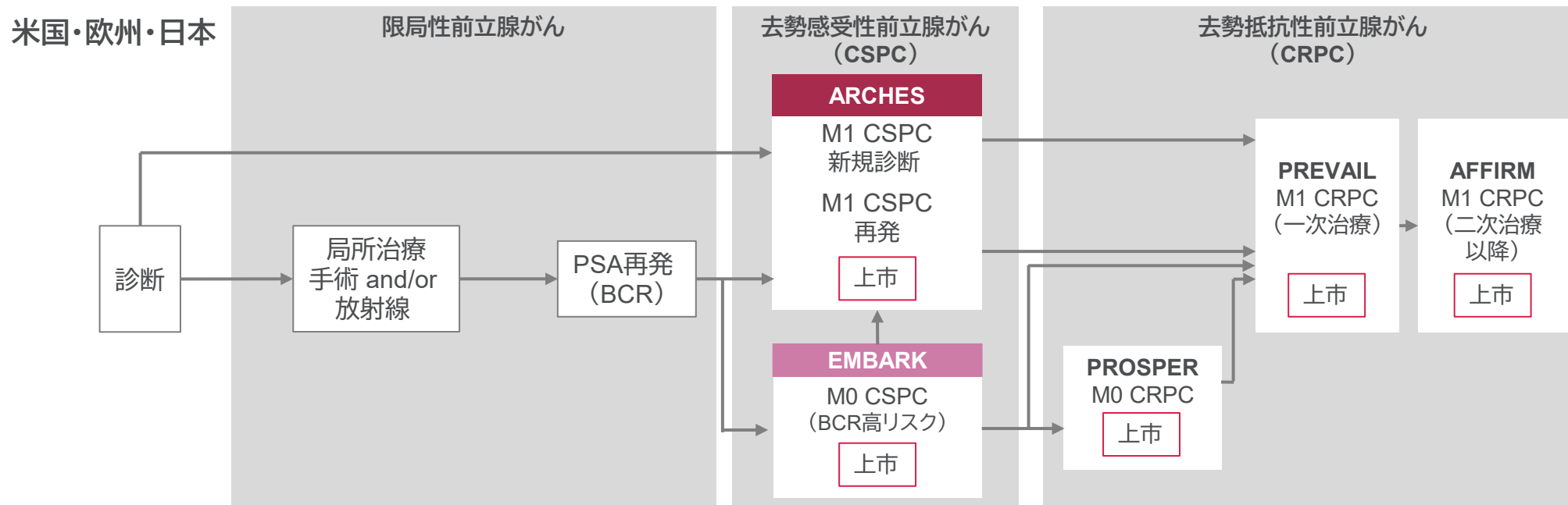
プロジェクト/製品	適応症	最新状況
エンザルタミド/ XTANDI	M1 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> <li>中国で適応追加の承認を2024年6月に取得</li> </ul>
エンホルツマブ バドチン/ PADCEV	転移性尿路上皮がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>治療歴なし(一次治療):日本で適応追加の承認申請が2024年1月に受理。中国で適応追加の承認申請が2024年3月に受理。欧州CHMPが販売承認勧告を2024年7月に採択。</li> <li>治療歴あり:中国で申請が2023年3月に受理</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(症例組み入れ終了)</li> </ul>
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅰ相試験進行中</li> </ul>
	その他の種類の固形がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験進行中。第Ⅱ相EV-202試験の追加データを米国臨床腫瘍学会(ASCO)で2024年6月に発表</li> </ul>
ギルテリチニブ/ XOSPATA	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MORPHO試験に基づく開発を中止</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(症例組み入れ終了)</li> </ul>
	未治療AML(強力な化学療法不適応)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅰ相試験進行中</li> </ul>
ゾルバツキシマブ/ VYLOY	AML(化学療法後の維持療法)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相GOSSAMER試験のトップライン結果を入手</li> </ul>
	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>中国で承認申請が2023年7月に受理。米国で承認再申請が2024年5月に受理。欧州CHMPが販売承認勧告を2024年7月に採択</li> <li>免疫チェックポイント阻害剤および化学療法との併用を評価する第Ⅲ相試験を2025年前半に開始予定</li> </ul>
	膵腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験進行中(症例組み入れ終了)</li> </ul>
fezolinetant/ VEOZAH	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>日本:第Ⅲ相試験進行中</li> </ul>
	補助内分泌療法中の乳がん患者における血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験を2024年度2Qに開始予定</li> </ul>
avacincaptad pegol/ IZERVAY	地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性 Stargardt病	<ul style="list-style-type: none"> <li>欧州で承認申請が2023年8月に受理。米国でラベル改訂の承認申請が2024年3月に受理</li> <li>第Ⅱb相試験進行中</li> </ul>

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

M1:転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、CHMP:欧州医薬品委員会、ASCO:American Society of Clinical Oncology、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

(青字: 前回の決算発表以降の進捗)



中国 ・ M1 CSPC: 2024年6月に適応追加の承認を取得

# エンザルタミド(2/2): 病期別第Ⅲ相試験データ

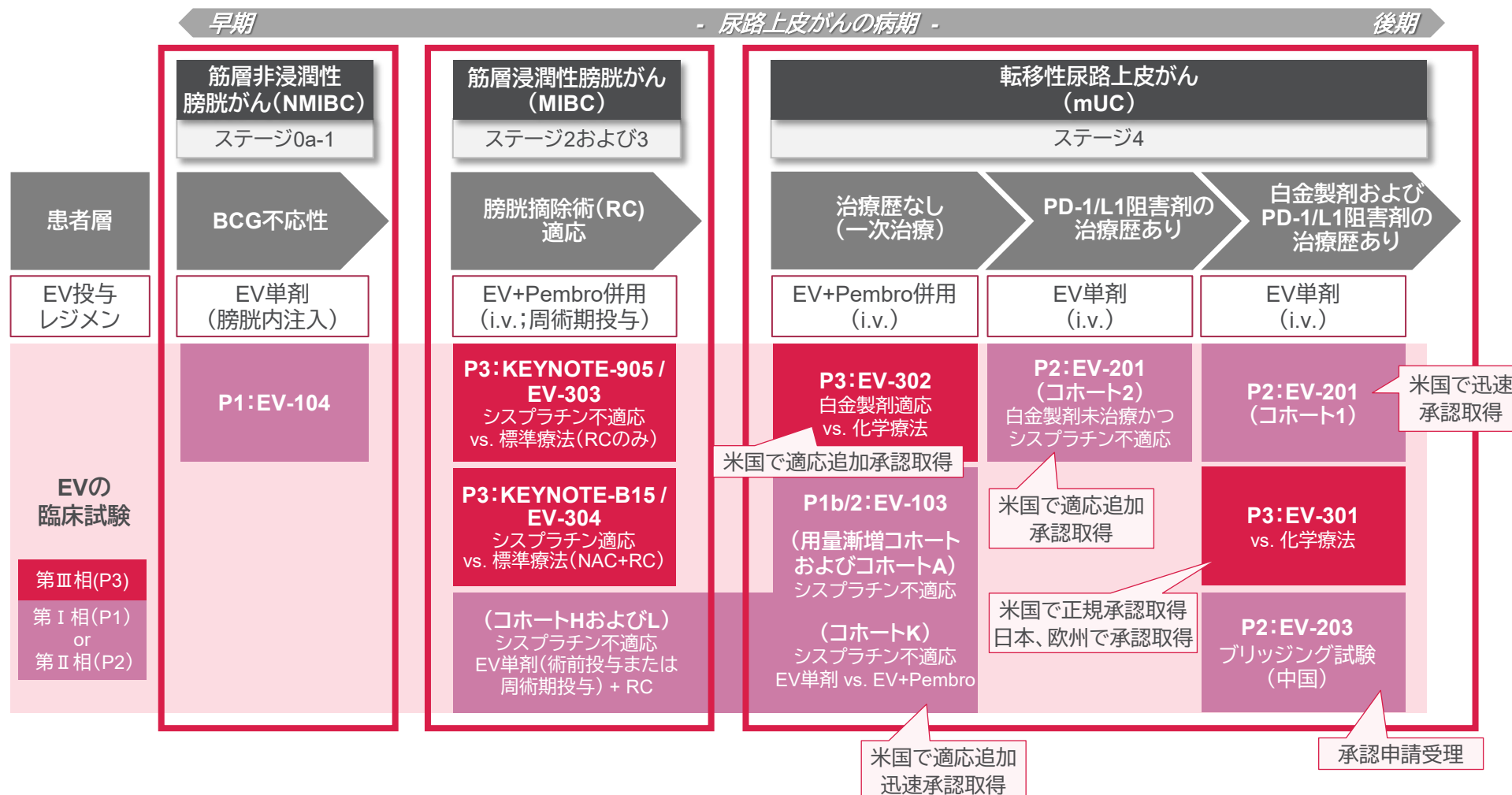
早期前立腺がんにおいても薬効を示す

- ✓ 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



# エンホルツマブ ベドチン(EV)(2/4): 臨床試験

(青字: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=1,030	2023年12月に米国で適応追加の承認取得。2024年1月に日本で適 応追加の承認申請が受理。2024年3月に中国で適応追加の承認申 請が受理。 <b>2024年7月に欧州CHMPが販売承認勧告を採択</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	症例組み入れ終了
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	症例組み入れ終了
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、食道胃 接合部腺がんを含む胃および食道腺がん、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	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	EFS	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

- 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	19,000**
	Cis適応	EV-304 (Pembro併用)	2025年度以降	64,000**
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]	87,000
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	1,500 (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	46,000

<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**)

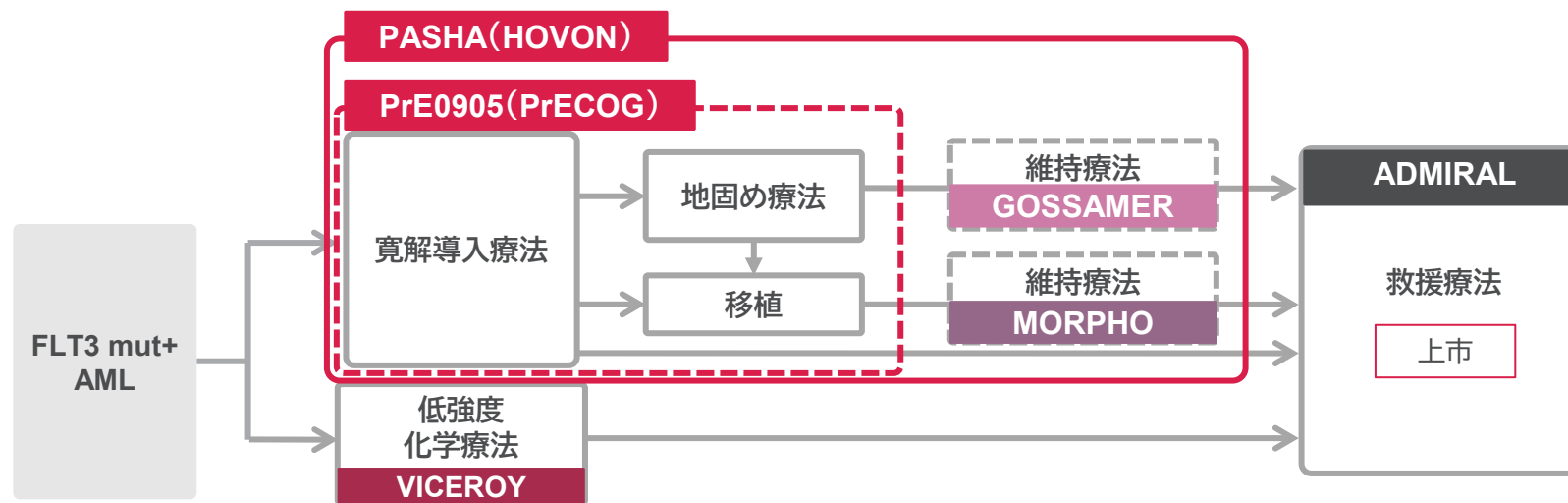
\*単剤:

- 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
- 食道胃接合部腺がんを含む胃および食道腺がん
- 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	<a href="#">NCT02421939</a>	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)	<a href="#">NCT04027309</a>	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)	<a href="#">NCT03836209</a>		n=181	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	<a href="#">NCT02997202</a>	単独療法とプラセボとの比較(1:1)	n=356	MORPHO試験に基づく開発を中止
化学療法後の維持療法	第Ⅱ相:GOSSAMER	<a href="#">NCT02927262</a>	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/Ⅱ相:VICEROY	<a href="#">NCT05520567</a>	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

(青字: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
- SPOTLIGHT試験およびGLOW試験において、スクリーニングされた患者の約38%が、Claudin 18.2陽性と判定

## 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん

- ステージ4の転移性胃がんにおける5年生存率は約6%で、アンメットニーズが非常に高い

## 膵腺がん

- 転移性のステージにおける5年生存率は5%以下

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7月に中国で承認申請が受理 2024年5月に米国で承認再申請が受理 2024年7月に欧州CHMPが販売承認勧告を採択
	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	
	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 コホート5:周術期、FLOTとの併用	n=143	FSFT:2018年9月
膵腺がん	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=393	症例組み入れ終了

# 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、満足度のいく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

### 閉経に伴うVMS

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	FSFT:2024年3月
	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	FSFT:2024年2月
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

### 補助内分泌療法中の乳がん患者におけるVMS

第Ⅲ相:HIGHLIGHT 1	<a href="#">NCT06440967</a>	乳がん補助内分泌療法に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 52週(有効性評価のエンドポイントは4週および12週): 二重盲検、vs. プラセボ(1:1)	n=540	2024年度2Qに開始予定
-----------------	-----------------------------	--	-------	---------------

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

## 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 2024年3月に米国でラベル改訂の承認 申請が受理
	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=121	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

変化する医療の最先端へ

