

2021年度決算概況



2022年4月27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 2021年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2022年度 連結業績予想と
期待される主なイベント

2021年度第4四半期の経営計画2021の主な進捗

成果目標

- 1.売上収益: XTANDIおよび重点戦略製品の売上は2025年度に1.2兆円以上
- 2.パイプライン価値: Focus Areaプロジェクトからの売上は2030年度に5,000億円以上
- 3.コア営業利益率: 2025年度に30%以上

- fezolinetant長期安全性試験結果判明
- パドセブの欧州承認
- AT132開発計画の見直し
- ASP8731およびASP3082の臨床段階への進展
- マテリアリティ・マトリックスの更新
- サステナビリティ ミーティングの初開催

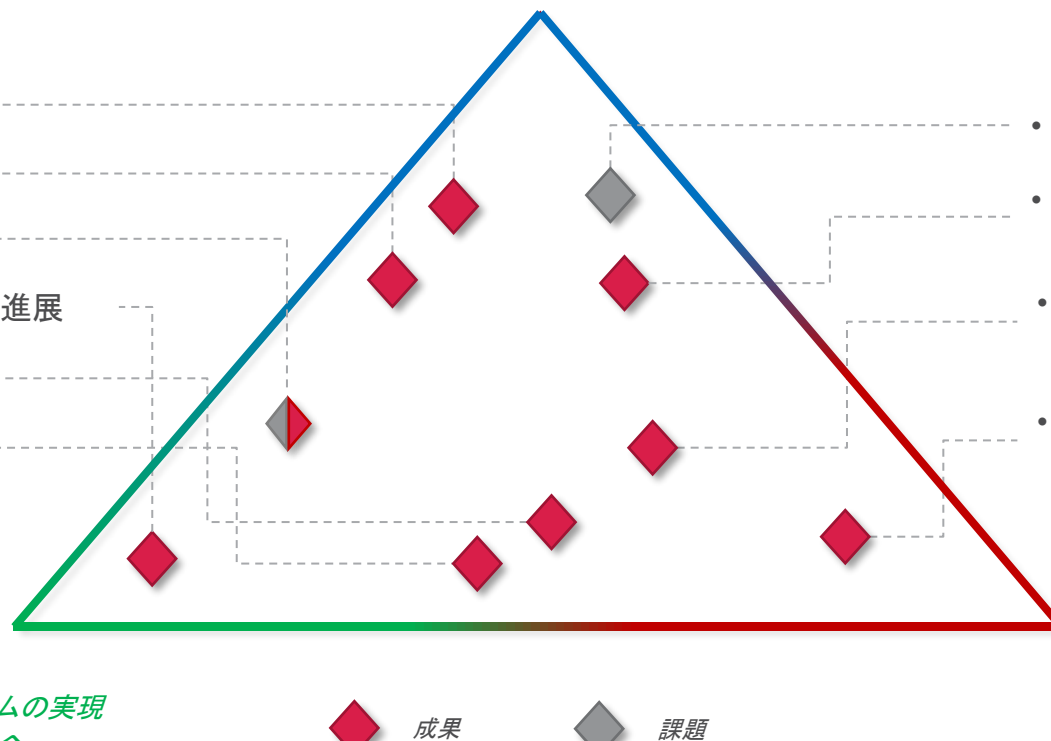
- 販管費のコントロール
- グローバルでの機能の集約と標準化、より優れた組織的能力構築のためのコマーシャル機能の再編
- 部門目標設定に意欲的な目標および部門横断的な目標を導入
- “Astellas Leadership Expectations”の策定と全リーダーへのトレーニング実施(約3,000人)

戦略目標

1. 患者さんのより良いアウトカムの実現
2. 科学の進歩を確かな「価値」へ
3. Rx+ ビジネスの進展
4. サステナビリティ向上の取り組みを強化

組織健全性目標

1. 果敢なチャレンジで大きな成果を追求
2. 人材とリーダーシップの活躍
3. One Astellas で高みを目指す



2021年度業績の概要

3期ぶりの増収を達成

売上収益は前期比較で4%増加、通期予想に対して若干の未達

- XTANDIおよび重点戦略製品の売上は前期比較で19%伸長し、販売契約終了や製品譲渡による売上の減少をカバー
経営計画2021に沿って設定した意欲的な通期予想に対しては未達
- 販管費は想定を上回り増加
研究開発費は通期予想通りの使用も、特殊要因を除くと未消化

営業利益

- コア営業利益は、将来に向けた標準化・合理化投資の促進、4QのXTANDIの一時的減速、期末の急激な円安による売上原価上昇が響き、通期予想に対して未達
- フルベースも通期予想に対して未達
 - 4Qに、通期予想に織り込んでいない無形資産、のれんの減損損失を計上：
AT132の開発計画の見直し(312億円)、ASP2390の開発中止(113億円)、ASP1951の開発中止(52億円)

2021年度業績

(億円)	2020年度	2021年度	増減額	増減率	2021年度 通期予想*	達成率	為替の影響
売上収益	12,495	12,962	+466	+3.7%	13,230	98.0%	+596億円
売上原価	2,461	2,530	+69	+2.8%			
売上収益比率	19.7%	19.5%	-0.2 ppt				
販管費	5,043	5,488	+445	+8.8%	5,410	101.4%	+250億円
内、米国XTANDI共同販促費用	1,202	1,393	+191	+15.9%			
上記を除く販管費	3,842	4,095	+254	+6.6%			+172億円
研究開発費	2,245	2,460	+215	+9.6%	2,420	101.7%	+80億円
無形資産償却費	238	283	+45	+19.0%			
無形資産譲渡益	-	242	+242	-			
コア営業利益	2,514	2,447	-66	-2.6%	2,700	90.6%	+185億円
<フルベース>							
その他の収益	76	153	+76	-			
その他の費用	1,230	1,043	-186	-			
営業利益	1,361	1,557	+196	+14.4%	2,180	71.4%	
税引前利益	1,453	1,569	+116	+8.0%	2,160	72.6%	
当期利益	1,206	1,241	+35	+2.9%	1,740	71.3%	



2021年度業績：主要製品売上

2021年度実績

XTANDI 前期比：+759億円(+17%)
5,343億円 通期予想達成率：96%
 通期予想：5,541億円

ゾスパタ 前期比：+102億円(+43%)
341億円 通期予想達成率：96%
 通期予想：354億円

パドセブ 前期比：+89億円(+70%)
217億円 通期予想達成率：105%
 通期予想：207億円

エベレンゾ 前期比：+15億円(+132%)
26億円 通期予想達成率：36%
 通期予想：72億円

ミラベグロン 前期比：+87億円(+5%)
1,723億円 通期予想達成率：98%
 通期予想：1,763億円

- ✓ グローバル売上は引き続き二桁成長
- ✓ 下記の主な要因により意欲的な通期予想に対しては未達
 米国：COVID-19の影響（販促活動の低下、新規患者の減少）、競合激化
 欧州：保険償還の遅れ、価格圧力の拡大、競合激化
- ✓ グローバル売上は拡大（主に米国、欧州、中国で拡大）
- ✓ 米国、日本では現在の適応症で高いマーケットシェアを獲得
- ✓ 通期予想に対しては未達
- ✓ グローバルでの売上は通期予想を上回り達成
- ✓ 米国での売上は通期予想通り拡大
- ✓ 日本では2021年11月に発売、想定を上回る市場への浸透
- ✓ 日本での売上は競合激化の影響で予想に対して未達
- ✓ 欧州では2021年9月に発売、COVID-19の影響（販促活動の制限）や標準治療薬との差別化の浸透が想定を下回り予想に対して未達
- ✓ グローバル売上は拡大したものの、通期予想に対して若干の未達
- ✓ 米国ではOAB市場の成長が想定を下回ったことに加え、価格圧力も拡大しており予想に対して未達



2021年度業績：費用項目

販管費は前期比較で増加し、想定を上回り使用

研究開発費は前期比較で増加し、一時的な要因を除くと想定を下回る使用

コアベース：主要な費用項目の前期比較と対予想

売上原価率

前期比：0.2ppt低下



- ✓ 主に製品構成の変化により低下
- ✓ 未実現利益消去に係る為替の影響：+0.2 ppt

販管費

前期比：8.8%増加

通期予想達成率：101%



- ✓ 米国XTANDI共同販促費用を除く販管費は82億円増加(+2.1%) (為替の影響除く)
- ✓ デジタルトランスフォーメーションへの投資(約+80億円)
- ✓ 新製品上市・育成に向けた販促費用の増加(約+50億円)
- ✓ 製品ポートフォリオの変化に伴うグローバルでの要員最適化(約-90億円)

研究開発費

前期比：9.6%増加

通期予想達成率：102%



- ✓ 為替の影響(+80億円)
- ✓ ゾルベツキシマブの開発費用の増加に加え、iotaへの投資を拡大
- ✓ 開発品の商用生産に関わる在庫を研究開発費として計上(約+80億円)
- ✓ 一時的な要因を除くと、通期予想に対しては想定を下回る使用

本日の内容

I 2021年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2022年度 連結業績予想と
期待される主なイベント

XTANDIおよび重点戦略製品の進捗ハイライト

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

2021年度に期待される主なイベント(2021年4月発表)

マイルストーン	プロジェクト / 製品	適応症 または 臨床試験	達成状況	達成時期
当局の判断	エンザルタミド / XTANDI	転移性ホルモン感受性前立腺がん(欧州)	✓	2021年4月
	エンホルツマブ ベドチン / パドセブ	白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴のあるmUC(米国 ^{a,b})	✓	2021年7月
		シスプラチン不適応で治療歴のあるmUC(米国 ^a)	✓	2021年7月
		白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴のあるmUC(欧州)	✓	2022年4月
		がん化学療法後に増悪した根治切除不能な尿路上皮癌(日本 ^c)	✓	2021年9月
	ロキサデュスタット / エベレンゾ	慢性腎臓病に伴う症候性貧血(欧州)	✓	2021年8月
申請	ギルテリチニブ / ゾスパタ	再発または難治性のAML(中国 ^d)	未達成	
データ判明	fezolinetant	第Ⅲ相試験SKYLIGHT 1、2および4の52週データ	✓	2021年7月(SKYLIGHT 2) 2021年10月(SKYLIGHT 1) 2022年3月(SKYLIGHT 4)

(✓: 達成)

- a: 優先審査に指定、Real-Time Oncology Review pilot programおよびProject Orbis適用
 b: 迅速承認(Accelerated Approval)を正規承認に変更するsBLA
 c: 優先審査に指定
 d: 条件付き承認を完全承認に変更するためのsNDA



エンホルツマブ ベドチン(EV): 筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)における最初の臨床試験結果

MIBCを対象として進行中の第Ⅲ相試験を支持する有望なデータを取得

<EV-103試験コホートH>

対象患者	シスプラチン不適応のMIBC患者
試験デザイン	EV単剤術前投与 21日サイクルの1・8日目×3サイクル
症例数	22
主要評価項目	中央病理診断に基づく病理学的完全奏効(pCR)
副次評価項目	中央病理診断に基づく病理学的ダウンステージ(pDS)、安全性等

EV単剤術前投与

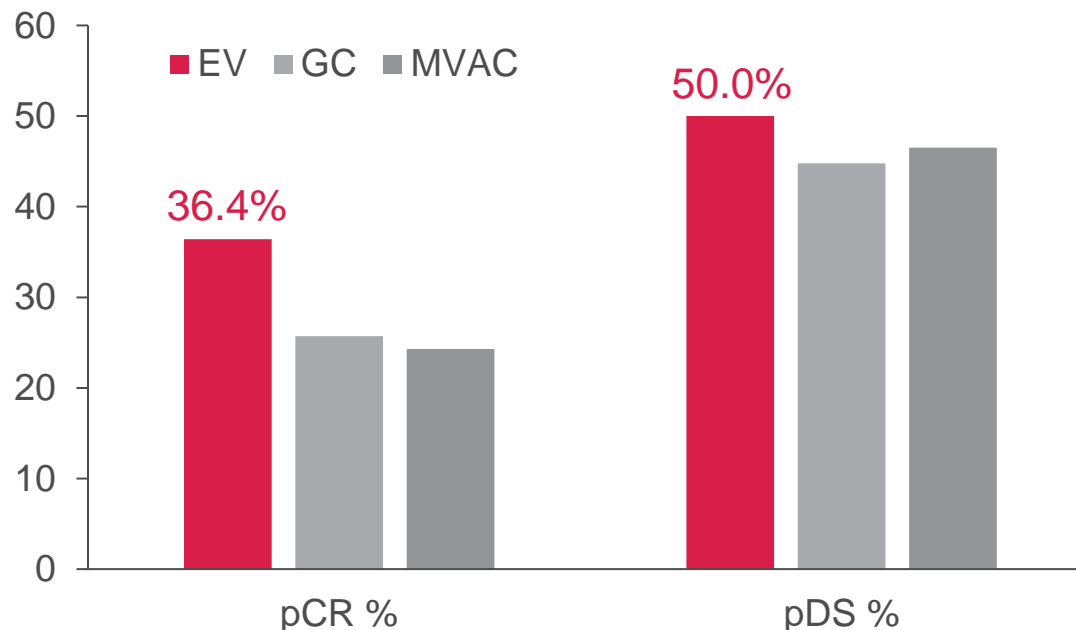
膀胱摘除術 &
骨盤リンパ節郭清

EV最終投与の
4-12週間後



顕微鏡検査

<抗腫瘍効果：シスプラチン化学療法*との比較>



EV: EV-103試験コホートH、シスプラチン不適応のMIBC患者
GC、MVAC: シスプラチン適応MIBC患者

fezolinetant: MOONLIGHT 1およびSKYLIGHT 4試験のトップライン結果

- MOONLIGHT 1試験結果による経営計画2021で示した売上予想への影響は軽微であると想定
- SKYLIGHT 4試験の結果は米国および欧州における今後の承認申請を支持

	MOONLIGHT 1	(参考)SKYLIGHT 1/2	SKYLIGHT 4
試験実施	非米国IND下	米国IND下	米国IND下
対象患者	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する女性	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する女性	閉経に伴うVMSを有する女性
試験デザイン	<ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> 52週: 二重盲検、30 mg、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)
地域	中国、韓国、台湾	米国、カナダ、欧州	米国、カナダ、欧州
症例数	302	527 / 501	1,831
主要評価項目	<ul style="list-style-type: none"> 投与後4週および12週時における中等度から重度のVMSの頻度および重症度のベースラインからの平均変化量 	<ul style="list-style-type: none"> 投与後4週および12週時における中等度から重度のVMSの頻度および重症度のベースラインからの平均変化量 	<ul style="list-style-type: none"> 有害事象の頻度および重症度 子宮内膜増殖症、子宮内膜がんの発現率
トップライン結果	<ul style="list-style-type: none"> 主要評価項目: 未達 ✓ ベースラインからの数値的改善は見られたが、統計的有意性を示さず 12週時安全性データ: これまでの臨床試験で得られた結果と一致 	<ul style="list-style-type: none"> 主要評価項目: 達成 12週時安全性データ: 懸念となる新たな安全性シグナルは認められず 	<ul style="list-style-type: none"> 主要評価項目(子宮内膜への影響): 達成 最も多く見られた有害事象: プラセボ投与群と一致

赤字: MOONLIGHT 1試験とSKYLIGHT 1/2試験の相違点(12週まで)

<今後の学会発表予定> 2022年5月: SKYLIGHT 1試験 12週データ @米国産婦人科学会(ACOG)
2022年6月: SKYLIGHT 2試験 52週データ @米国内分泌学会(ENDO)



Focus Areaアプローチの進展(1/2): Primary Focus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
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
		AT845	第 I 相試験進行中 第 I 相試験の中間データを2022年2月のWORLD Symposiumで発表
	遺伝子調節(AAV)		
がん免疫	チェックポイント	ASP1951	開発中止
		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
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)		
	二重特異性免疫細胞誘導	ASP2138	第 I 相試験を2022年4-6月に開始予定
	がん細胞医療(UDC)		
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317	製造遅延により、第 I b相試験における新規症例組み入れを中断中
	細胞補充(UDC)		
	遺伝子調節(AAV)		
ミトコンドリアバイオロジー	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP1128	開発中止
		ASP0367	PMM患者対象第 II/III相試験進行中 DMD患者対象第 I b相試験進行中
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731	第 I 相試験のFSFTを2022年3月に達成
	ミトコンドリア・トランスファー		
Primary Focus候補	細胞による免疫調節・制御		
	組織特異的免疫応答制御		
	標的タンパク質分解誘導	ASP3082	第 I 相試験を2022年4-6月に開始予定

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

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、FSFT: 最初の症例への投与

Focus Areaアプローチの進展(2/2): 2021年度まとめ

Primary Focus	バイオロジー / モダリティ / テクノロジー ¹	2021年度成果			2025年度末までにPoC見極め時期を迎える予定のPJ数			
		新規新薬候補数 ²	臨床入り	PoC達成	経営計画2021 ³	PoC見極め前に中止	PoC未達	2022年4月時点
遺伝子治療	遺伝子置換(AAV)	1			7	3 (AT702、AT751、AT753)		4
	遺伝子調節(AAV)							
がん免疫	チェックポイント	1	2 (ASP1570、ASP2138)		15	1 (前臨床プロジェクト)	2 (ASP1948、ASP1951)	12
	人工アジュバントベクター細胞(aAVC)							
	腫瘍溶解性ウイルス(腫瘍内投与)							
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)							
	二重特異性免疫細胞誘導							
	がん細胞医療(UDC)							
	細胞補充							
再生と視力の維持・回復	細胞補充(UDC)	1			3			3
	遺伝子調節(AAV)							
	細胞による免疫調節・制御							
ミトコンドリアバイオロジー	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	1	1 (ASP8731)		5		1 (ASP1128)	4
	ミトコンドリアストレス応答							
	ミトコンドリア・トランスファー							
Primary Focus候補	細胞による免疫調節・制御	5	1 (ASP3082)		1			1
	組織特異的免疫応答制御							
	標的タンパク質分解誘導							
その他								
合計		9	4	0	31	4	3	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. IND(治験許可申請)/臨床開発に向けた準備を開始した新規治療薬候補の数、3. 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(経営計画2021公表時点の数値)
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

Rx+プログラムの進展(1/2): 2021年度まとめ



2021年度に期待される主なイベント(2021年4月発表)

スフィア*	プログラム	イベント	達成状況	達成時期
慢性疾患の重症化予防	Fit-eNce	自宅で実施可能なサービス(Fit-eNce Home)のパイロット販売開始	✓	2021年9月
	運動支援ゲームアプリ	パイロット販売開始	未達成 (製品の仕様を検討中)	
	BlueStar	臨床試験開始(日本)	未達成 (臨床試験計画を検討中)	
	マイホルターII	サービス事業化	✓	2021年7月
手術・診断精度向上による患者アウトカム最大化	pudexacianinium chloride (ASP5354)	第II相試験のトップライン結果入手	✓	2021年11月

(✓:達成)

上記以外の進捗

- 心電計による検査サービスでNitro、エムハートと提携(2021年9月)



Rx+プログラムの進展(2/2): pudexacianinium chloride (ASP5354)



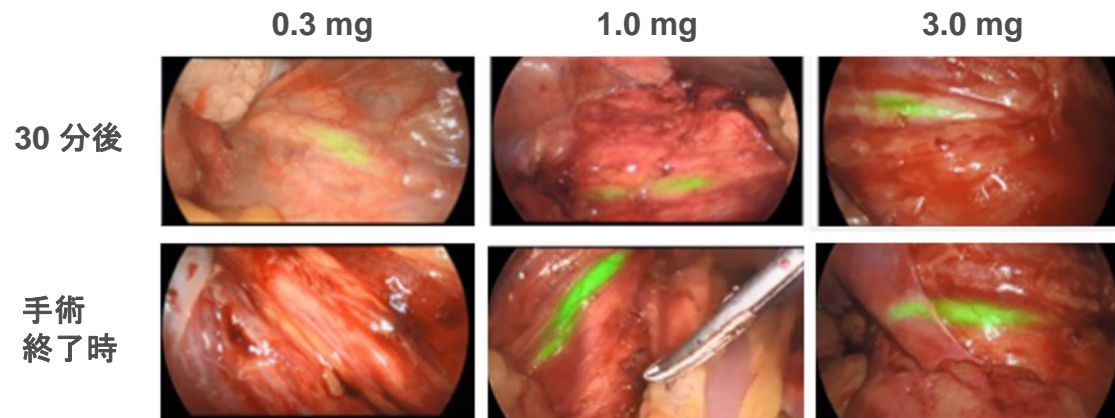
pudexacianiniumは、第II相試験において今後の開発を支持する良好な有効性と安全性を示した

第II相試験の結果

- 近赤外蛍光条件下において、pudexacianiniumによる手術中の尿管可視化を確認
- pudexacianiniumの安全性と忍容性を確認:
安全性に関する問題や臨床的に意義のある変化(心電図、血液学、生化学、尿検査)はこれまで認められていない。重篤な有害事象は発生しておらず、治験責任医師により治療中に発生した有害事象と評価されたものは1件のみ(グレード1=軽度のタンパク尿)であった
- pudexacianiniumの手術中尿管可視化における有効用量は1.0 mg

今後の計画

- 第III相試験を2022年度に開始予定
- 2023年度に米国で承認申請予定
- 事業化に向け、デバイスメーカーとの提携を検討中



pudexacianinium投与後30分および手術終了時における尿管可視化

腹腔鏡下低侵襲大腸手術を受けている被験者
0.3 mg、1.0 mg、3.0 mgのいずれかを手術中に単回静脈内投与
緑色のシグナルがpudexacianiniumによる蛍光であり、尿管の位置を示している
(2022年3月のSAGESにて発表)



経営計画2021 初年度の振り返り

いくつかの課題を認識するものの、全体として成果目標の達成は実現可能

経営計画2021における進捗

- 予定通り進展
- 課題として認識

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

- 売上は前期比較19%伸長、目標に対してon track
- 予定した開発上の重要マイルストンの大部分を達成

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

- 9プロジェクトが新規新薬候補
4プロジェクトが臨床入り
- 7プロジェクトで見極め
- Primary Focusから後期開発
ステージへの進展なし
- AT132臨床試験差し止め

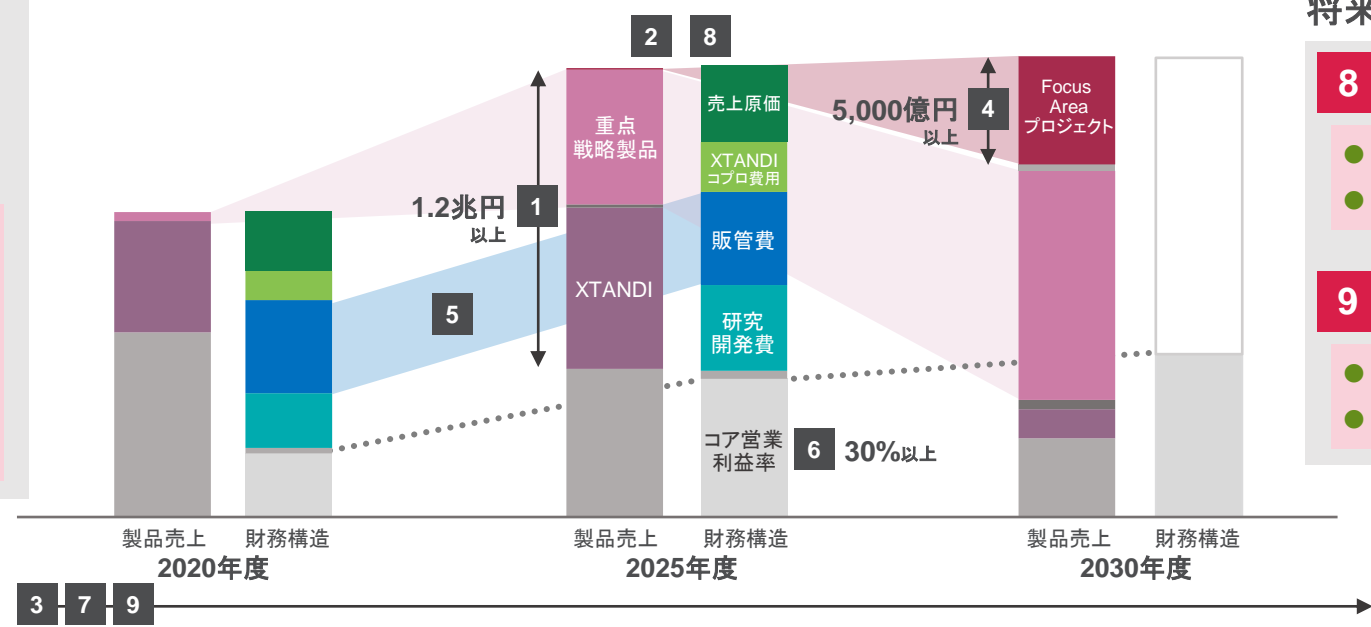
コア営業利益

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

- 成長に向けた戦略的な先行投資
- 販管費は想定を上回り増加
(OHG推進、DX、新製品等の将来
成長への投資増加を旧来型費用の
削減努力でカバーできず)



将来成長

8 Rx+：2025年度までにBreakeven

- 最初のサービス事業化
- ASP5354：第Ⅲ相段階への進展

9 サステナビリティ

- TCFD提言に沿った開示
- マテリアリティ・マトリックスの更新

重点戦略製品：ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132
 PoC: Proof of concept、OHG: Organizational Health Goals (組織健全性目標)、DX: デジタルトランスフォーメーション、TCFD: 気候関連財務情報開示タスクフォース



本日の内容

18

I 2021年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2022年度 連結業績予想と
期待される主なイベント

2022年度通期業績予想の概要

- 2022年度は増収・増益を見込む
コア営業利益率20.1%を予想
- XTANDIおよび重点戦略製品の売上は継続成長(前期比+24%成長)
成熟製品による売上の減少をカバー
- Primary Focusの研究開発費や新製品の立ち上げ・発売準備費用(主にfezolinetant、ゾルベツキシマブへの投資)など、重点戦略領域に優先的に資源を配分
一方で企業の競争力、価値向上に寄与しないコストを徹底的に見直し
グローバルでの要員最適化による費用削減、成熟製品の費用の徹底削減、調達コストの最適化により販管費を厳格にコントロール
断捨離イズムの推進*による労働生産性の向上を目指す
- 一株当たり配当金: 10円増配の60円を予想

2022年度通期業績予想

(億円)	2021年度 実績	2022年度 予想	増減率
売上収益	12,962	14,430	+11.3%
販管費	5,488	5,980	+9.0%
内、米国XTANDI共同販促費用	1,393	1,820	+30.6%
上記を除く販管費	4,095	4,160	+1.6%
研究開発費	2,460	2,540	+3.2%
コア営業利益	2,447	2,900	+18.5%
<フルベース>			
営業利益	1,557	2,690	+72.8%
当期利益	1,241	2,080	+67.6%

2022年度 予想 (為替レート)
ドル:120円 ユーロ:135円

AT702、AT751、AT753の開発中止に伴う減損損失(\$170M)は2022年度1Qに計上予定
通期業績予想には織り込み済み

2022年度通期業績予想：XTANDIおよび重点戦略製品

	2022年度予想	2022年度の取り組み、成長要因
XTANDI	6,425 億円 前期比 +1,082(+20%)	<ul style="list-style-type: none">• 米国、日本、国際市場において、M1 CSPCの適応症で売上拡大• 中国ではM1 CRPCの適応症で引き続き力強い成長を期待
ゾスパタ	462 億円 +121(+36%)	<ul style="list-style-type: none">• 米国、エスタブリッシュド市場での継続成長を見込むとともに、国際市場でも発売国の増加により売上貢献を期待
パドセブ	365 億円 +148(+68%)	<ul style="list-style-type: none">• 米国では現在の適応症において継続成長を見込む• 昨年12月に発売となった日本でも更なる市場シェア拡大を期待• 欧州主要国での発売と保険償還獲得に向けた準備
エベレンゾ	99 億円 +73(+281%)	<ul style="list-style-type: none">• 日本ではHIF-PH阻害薬内でのポジショニングを強化し、更なる成長を見込む• 欧州での発売国増加と保険償還の獲得により市場シェア拡大• 国際市場での売上貢献開始

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

	4-6月	7-9月	10-12月	1-3月	
エンザルタミド / XTANDI		EMBARC試験TLR ¹	申請 (M0 CSPC、米国)	China-ARCHES試験TLR ¹	申請 データ判明 その他
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ		EV-103試験コホートK TLR ¹	申請 (1L mUC; 米国)	EV-203試験TLR (治療歴のあるmUC、中国) ¹	
ゾルベツキシマブ*	Claudin 18.2の啓発活動 <ul style="list-style-type: none"> 胃がんを管理する医療従事者や病理医に対する病態やバイオマーカーの啓発 探索的バイオマーカーや臨床試験データに関する論文化など、Claudin 18.2検査が発売時に確実に実施されるための取り組み Claudin 18.2の認知と転移性胃がんにおける重要な標的であることについて、ペイヤー(支払者)の理解を促進するための取り組み 		SPOTLIGHT試験TLR ¹	GLOW試験TLR ¹	* 申請目標時期は 2023年度に移行
fezolinetant	VMSの啓発活動 <ul style="list-style-type: none"> 10万人以上の医療従事者と1,000万人以上の女性へのアクセスを目指したVMSIに関する疾患啓発 女性の生活への影響や臨床的・経済的負担に焦点を当てたペイヤー(支払者)とのVMSIに関する学術的な協議 デジタルやオンサイトの活動を通じた、アクセスとエンゲージメントを最適化するようにデザインされたデータ主導のオムニチャネルコミュニケーション 	申請 (米国)	申請 (欧州)		
AT132			FDAの臨床試験差し止め (clinical hold)への回答提出		

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、VMS: 血管運動神経症状、FDA: 米国食品医薬品局



XTANDIおよび重点戦略製品のピーク時売上予想(アップデート)

各製品の前提条件の見直しを実施、引き続き力強い成長を見込む

AT132は最新の状況を織り込み、ピーク時売上予想を下方修正

製品	ピーク時売上予想 (グローバル、億円)	前提条件のアップデート
XTANDI (エンザルタミド)	6,000 - 7,000	<ul style="list-style-type: none"> ✓ XTANDI・パドセブ・ゾスパタは、グローバルの競合環境をはじめ、直近の売上動向や処方動向(投与期間・治療率)、進行中の臨床試験の状況を織り込み、前提の見直しを実施 ✓ fezolinetantは最新の市場調査や潜在患者数、2021年度に入手した第Ⅲ相試験結果を織り込み、前提の見直しを実施 ✓ 見直した結果、ピーク時売上予想は変更なし
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	
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	<ul style="list-style-type: none"> ✓ ゾルベツキシマブは競合環境、エベレンゾは直近の売上動向と市場環境の前提を見直し、ピーク時売上予想の範囲内で下方修正
エベレンゾ (ロキサデュスタット) ²	500 - 1,000	
AT132 (resamirigene bilparvovec)	500 未満 ³	

注) ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2022年4月時点)



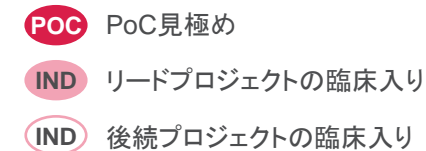
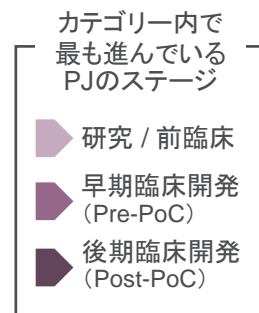
1. 米州については、パートナーのSeagen社が計上する売上を用いて算出、2. アステラスの権利範囲のみ：日本、欧州、独立国家共同体(CIS)、中東、南アフリカ等

3. 2021年5月公表のピーク時売上予想は500 - 1,000億円

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

2プロジェクトでPoC見極め、5プロジェクト(リードおよび後続プロジェクト)で臨床入りを予定

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		
	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			
	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)					
ミトコンドリアバイオロジー	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					
Primary Focus候補	細胞による免疫調節・制御					1
	組織特異的免疫応答制御					
	標的タンパク質分解誘導	ASP3082	IND			
					Total	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4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

Rx+プログラム：2022年度に期待される主なイベント



カテゴリー	プログラム	イベント
デジタルヘルス その他サービス	EG Holter	パイロット販売開始
デジタルセラピューティクス	BlueStar	臨床試験開始(日本)
医薬品/医療機器 コンビネーション	pudexacianinium chloride (ASP5354)	第Ⅲ相試験FSFT

- 埋め込み型医療機器(iota)：2023年度の臨床試験開始に向けて、2022年度はIDE申請準備を実施

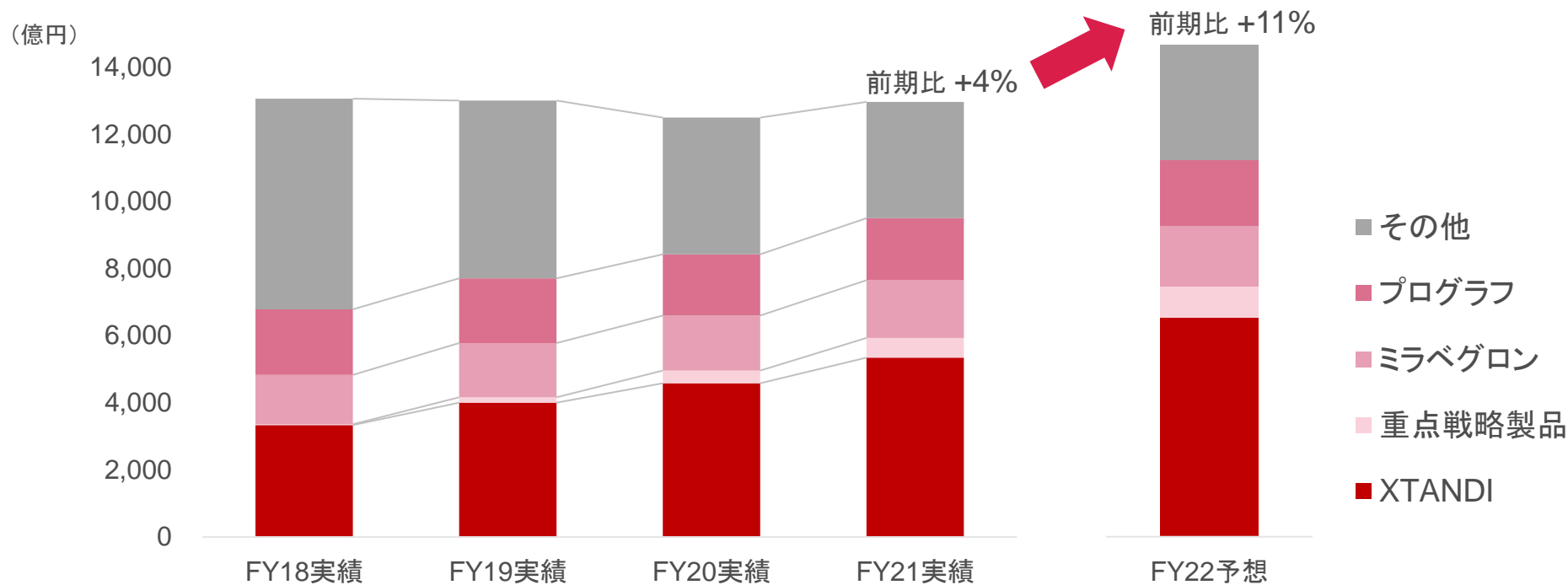
まとめ：中長期的な成長トレンドに向けて

製品ポートフォリオは大きく変化し、XTANDIおよび重点戦略製品の売上が大きく伸長
 2021年度は3期ぶりの増収を達成
 2022年度は継続成長しつつ、豊富な開発マイルストンの達成を目指す

2022年度 主な開発マイルストーン


- XTANDI: 米国 M0 CSPC申請
- fezolinetant: 欧・米申請
- パドセブ: 米国 mUC 1st line申請
- ゴルベツキシマブ: P3試験結果判明

売上収益の推移



重点戦略製品: ゾスパタ、パドセブ、エベレンゾ
 M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、mUC: 転移性尿路上皮がん

參考資料



断捨離イズムの推進

- 日本企業らしく、徹底的に無駄を省く「断捨離」の概念を、グローバルに日常業務へ展開
- 同時並行的に管理職には財務規律とコストオーナーシップを徹底し、従業員の労働生産性の向上による新たなイノベーションが起きやすい組織へと変革
- 販管費の絶対額を維持しながらも、新しいことにリソースを投資することを実現させるマインドセット

<断捨離イズムのステップ>

1. 聖域のない徹底的な業務の見直し

対象:

過去から続く慣例、古い業務プロセス、ルーチンワーク、など全ての業務

分類:

各業務を“Must have”／“Nice to have”の観点で分類

2. 止める・捨てる業務の特定

特定:

ROIや優先度が“低い”業務を特定

(例)

既存の古い業務プロセス、類似の内容のレポート、過剰品質の報告書、会議参加者の見直し等

3. 特定した業務を実際に止める・捨てる

実行:

“勇気をもって”特定した業務の優先順位の低いものから断捨離し、従業員のホワイトスペースを確保

結果、コストの削減をしながら新しいことにリソースを投資

徹底的な効率化で持続的にイノベーションの創出が可能な環境を構築

2021年度業績：売上収益

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

	2020年度	2021年度	増減額	増減率
売上収益	12,495億円	12,962億円	+466億円	+3.7%

XTANDIおよび重点戦略製品の増加(前期比+19%)

XTANDI、ゾスパタ、パドセブ、エベレンゾ

+965億円



➤ 前年度1QにCOVID-19の影響を大きく受けたレキスキャンの売上は回復 **+155**億円

販売契約終了、製品譲渡の影響

セレコックス、リピトール、エリガード

-390億円



2021年度実績：地域別売上収益

(億円)	2020年度	2021年度	増減率
日本	2,791	2,588	-7.3%
米国	4,732	5,375	+13.6%
エスタブリッシュドマーケット	2,932	3,152	+7.5%
グレーターチャイナ	593	663	+11.8%
インターナショナルマーケット	1,111	1,101	-0.9%

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ、オーストラリア

グレーターチャイナ：中国、香港、台湾

インターナショナルマーケット：ロシア、中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、韓国、輸出売上等

2021年度実績：主要製品の売上

(億円)	2020年度	2021年度	増減率	為替の影響を 除いた増減率	2021年度 通期予想*
XTANDI	4,584	5,343	+16.6%	+10.6%	5,541
ゾスパタ	238	341	+42.9%	+35.6%	354
パドセブ	128	217	+69.5%	+60.8%	207
エベレンゾ	11	26	+131.5%	+131.0%	72
ミラベグロン	1,636	1,723	+5.3%	+0.7%	1,763
プログラフ	1,827	1,854	+1.5%	-3.8%	1,857



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/ベットミガ)
 プログラフ(アドバグラフ/グラセプター/アスタグラフXLを含む)

* 2021年10月公表

2021年度業績： 主要製品のビジネスアップデート

XTANDI

M1 HSPCの適応症での貢献によりグローバル売上は前期比17%の増加。意欲的な通期予想に対しては未達。米国は物量で前期比10%以上増加したが、COVID-19の影響(販促活動の低下、新規患者の減少)や競合激化により想定を下回って推移。また欧州では保険償還の遅れ(M1 HSPC)や価格圧力の拡大、競合激化により予想に対して未達

ゾスパタ

各地域での売上は拡大したものの、グローバル売上は通期予想に対して若干の未達。2021年4月に発売となった中国での売上は、良好な立ち上がりを示している(21年度実績:15億円)。国際市場においても承認国が増加しており、今後売上貢献を見込む

パドセブ

グローバル売上は通期予想を上回り達成。米国では適応追加後(2021年7月)、売上は着実に拡大、通期予想に沿った推移。米国以外でも発売国が増加:日本(同年11月)、スイス(同年12月)
直近で発売となった日本では、想定を上回る力強い立ち上がりを示している(21年度実績:18億円)

エベレンゾ

売上全体は通期予想に対して未達。前期比較で売上は着実に増加しているものの、日本では他のHIF-PH阻害薬による競合激化の影響で通期予想に対して未達。また欧州ではドイツ、オランダ、英国での発売後の立ち上がりが想定を下回ったことから通期予想に対して未達

ミラベグロン

グローバル売上は拡大(主に日本やエスタブリッシュドマーケットで売上貢献)したが、予想に対して未達。米国では引き続きOAB市場の成長が想定を下回ったことに加え、価格圧力も拡大しており予想に対して未達

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2020年度	2021年度	変動
ドル	106円	112円	6円安
ユーロ	124円	131円	7円安

期首 - 期末レートの変動

通貨	2020年度	2021年度
ドル	2円安	11円安
ユーロ	10円安	5円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 596億円の増加、コア営業利益: 185億円の増加
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 +0.2 ppt

2022年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

期中平均レート

通貨	2021年度	2022年度予想	変動
ドル	112円	120円	8円安
ユーロ	131円	135円	4円安

期首 - 期末レートの変動

通貨	2021年度	2022年度予想
ドル	11円安	2円高
ユーロ	5円安	0円安

業績予想前提と比較して1円高となった場合に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円高		期末日レート 予想前提より1円高
	売上収益	コア営業利益	コア営業利益
ドル	約66億円減少	約11億円減少	約6億円増加
ユーロ	約28億円減少	約12億円減少	約2億円増加

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)	2020年度末	2021年度末
総資産	22,736	23,324
現金及び現金同等物	3,261	3,160
親会社所有者帰属持分	13,861	14,603
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.0%	62.6%

(億円)	2020年度	2021年度
営業CF	3,068	2,574
投資CF	-819	-624
フリーCF	2,249	1,950
財務CF	-2,295	-2,163
社債及び短期借入金の増減額	-2,060	-300
長期借入れによる収入	800	-
長期借入金の返済による支出	-	-300
自己株式取得	-92	-507
配当金支払額	-762	-852



社債および借入金残高: 1,400億円(前期末から返済により600億円減少)

キャピタルアロケーション

1 成長を実現するための
事業投資を最優先

2 利益・資金計画および実績に
基づき、経営計画期間を
通じた配当水準の引き上げ

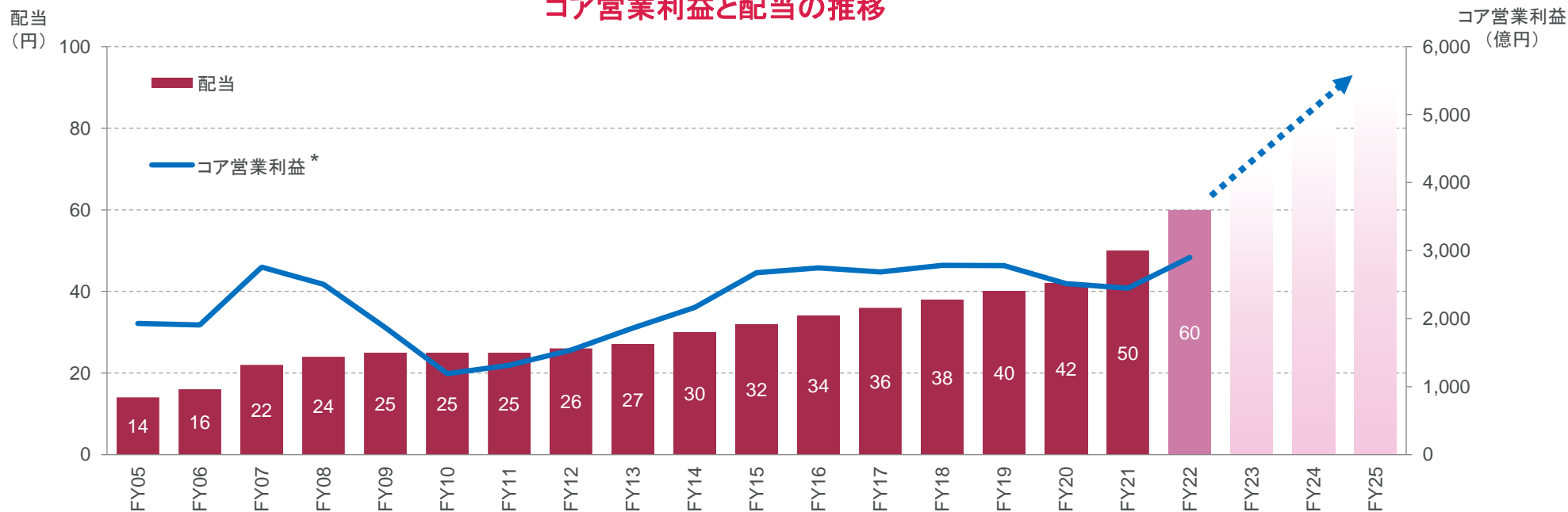
3 余剰資金が生じた際は、
自己株式取得を機動的に
実施

2022年2月決定の自己株式取得

- 期間: 22年2月3日～3月9日
- 取得株式総数: 2,600万株
- 取得価額: 500億円

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



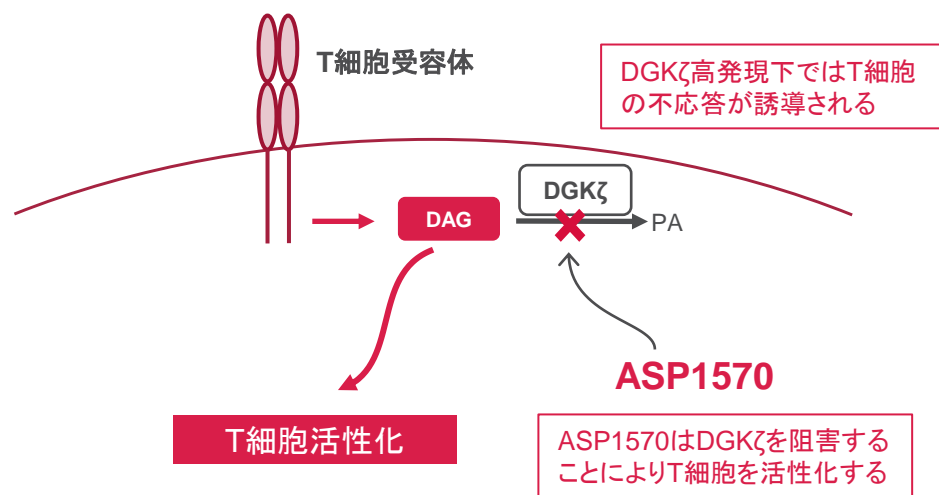
* 2012年度(2013年3月期)以前は、日本基準の営業利益

Focus Areaアプローチの進展：新たな臨床プログラム

Focus Areaアプローチからファーストインクラスを目指す2つのプログラムが臨床入り

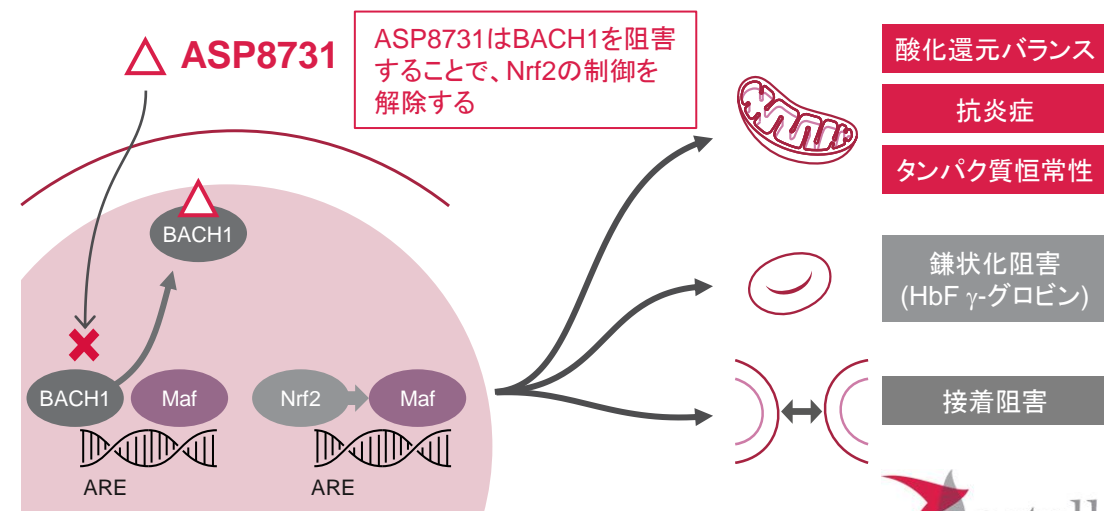
ASP1570 (PF がん免疫)

- 低分子DGKζ阻害剤
- 対象疾患：がん
- T細胞に発現するDGKζは、がん細胞に対する免疫応答において抑制性のシグナルを誘導する
- DGKζを阻害することでT細胞を活性化し、免疫介在性の腫瘍殺傷機能を促進する。既存のチェックポイント阻害剤とは作用機序が異なり、より下流のシグナルで作用する



ASP8731 (PF ミトコンドリアバイオロジー)

- 低分子BACH1阻害剤
- 対象疾患：鎌状赤血球症
 - ✓ 重篤で生涯続く疾患
 - ✓ 臓器に重度の障害が発生、QOL低下・寿命短縮
- ASP8731は細胞保護を誘導する転写を促進し、鎌状赤血球症の根本的な原因にアプローチする



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)
■ 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 (アルコール使用障害)

第Ⅱ相

■ エンホルツマブ ベドチン (その他の種類の固形がん)
■ ゾルベツキシマブ (膵臓腺がん)
■ ロキサデュスタット (化学療法に伴う貧血)
■ resamirigene bilparvovec / AT132 (XLMTM)
■ ASP7517 (AMLおよびMDS)
■ 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)
■ ASP8062 (オピオイド使用障害)

第Ⅲ相

■ エンザルタミド (M0 CSPC、M1 CSPC: 中国)
■ ギルテリチニブ (より早期ステージのAML、小児)
■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のないmUC、MIBC)
■ ゾルベツキシマブ (胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状)
■ ペフィシチニブ (関節リウマチ: 中国)
■ ミラベグロン (小児: 欧州)

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

■ Focus Areaアプローチ

■ その他

詳細は「新薬開発状況」を参照

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



開発中止

- ASP1951**：がん(第Ⅰ相)
- ASP1128**：急性腎障害(第Ⅱ相)
- ASP3772**：肺炎球菌感染症の予防(第Ⅱ相)
- ASP2390**：ハウスダスト誘発アレルギー性鼻炎(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"> 米国：添付文書へのOSデータ追加について2021年12月に申請 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)
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2022年10-12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試験のデータを2022年4月の米国がん学会(AACR)で発表
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"> 治療歴あり：2022年4月に欧州で承認取得 治療歴なし(一次治療)：第Ⅲ相試験進行中 中国：第Ⅱ相ブリッジング試験進行中(症例組み入れ終了)
	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Hのデータを2022年2月の米国臨床腫瘍学会 泌尿生殖器がんシンポジウム(ASCO GU)で発表
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
	他の種類の固形がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中
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"> 第Ⅱ相試験トップライン結果を入手
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> 米国・欧州：第Ⅲ相ピボタル試験(SKYLIGHT 2、SKYLIGHT 1)、第Ⅲ相長期安全性試験(SKYLIGHT 4)52週データを入手。第Ⅲ相DAYLIGHT試験進行中。第Ⅲ相SKYLIGHT 1試験の12週データを2022年5月の米国産婦人科学会(ACOG)で発表予定。第Ⅲ相SKYLIGHT 2試験の52週データを2022年6月の米国内分泌学会(ENDO)で発表予定 アジア：第Ⅲ相ピボタル試験(MOONLIGHT 1)の12週データを2022年3月に入手、LSLVを2022年4月に達成。第Ⅲ相長期安全性試験(MOONLIGHT 3)進行中(症例組み入れ終了) 日本：後期第Ⅱ相STARLIGHT試験進行中
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：ゾスパタ、パドセブ、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

M1：転移性、M0：非転移性、CSPC：去勢感受性前立腺がん、OS：全生存期間、CHMP：欧州医薬品委員会、AML：急性骨髄性白血病、AACR：American Association for Cancer Research、

ASCO GU：American Society of Clinical Oncology Genitourinary Cancers Symposium、ACOG：American College of Obstetricians and Gynecologists、ENDO：Endocrine Society、LSLV：最終症例における最終観察、FDA：米国食品医薬品局

XTANDIおよび重点戦略製品の申請スケジュール(アップデート)

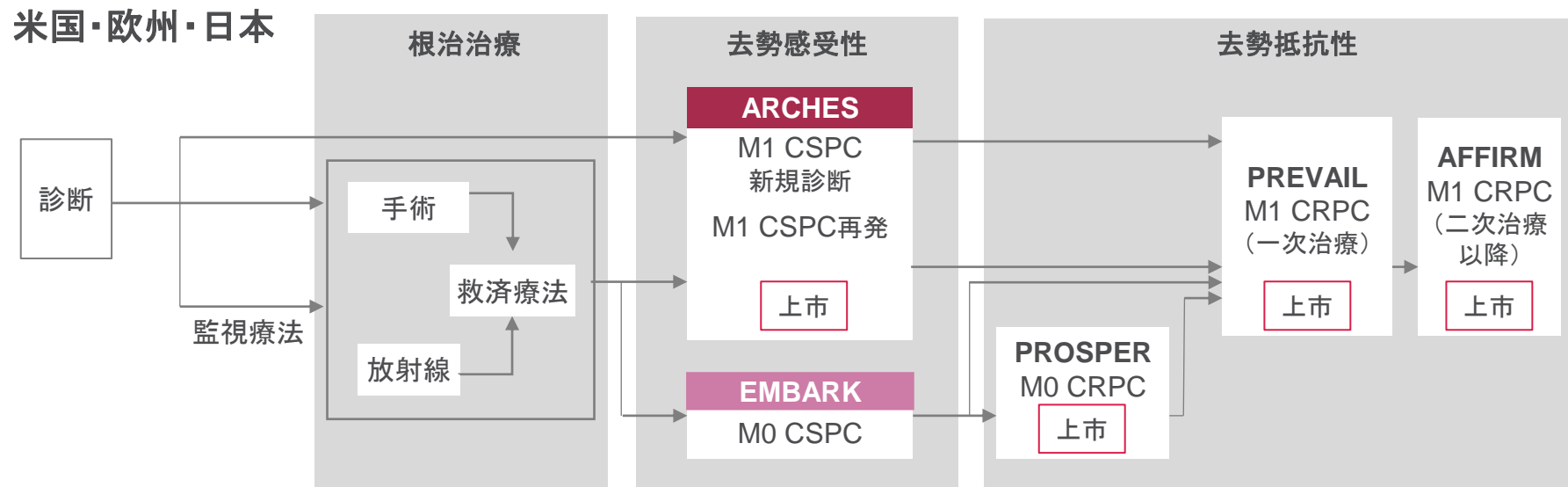
XTANDI、ゾスパタ、PADCEV の適応拡大、ならびに
ゾルベツキシマブ、fezolinetant、AT132の上市に向けた申請を予定

製品	目標申請時期				
	2021年度	2022年度	2023年度	2024年度	2025年度以降
XTANDI (エンザルタミド)		非転移性去勢感受性 前立腺がん			
ゾスパタ (ギルテリチニブ)			急性骨髄性白血病 (造血幹細胞移植後の 維持療法)		急性骨髄性白血病 (未治療、 強力な化学療法適応)
パドセブ (エンホルツマブ ベドチン)		転移性尿路上皮がん (治療歴なし) [米国;迅速承認申請]	EV-103試験 コホートデータに 基づく	転移性尿路上皮がん (治療歴なし;一次治療)	筋層浸潤性膀胱がん
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 中等度から重度の 血管運動神経症状			
AT132 (resamirigene bilparvovec)					X連鎖性ミオチューブラー ミオパチー

注) ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2022年4月時点)。
社内での評価・決定、必要に応じ当局との相談後に申請。最初の国・地域(米国・欧州・日本のいずれか)での申請予定

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	M1 CSPC	プラセボ対照、ADT併用	n=1,150	2019年12月に米国で、2020年5月に日本で、 2021年4月に欧州で承認取得 2021年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3月にCHMPが承認勧告を採択
第Ⅲ相: EMBARK	M0 CSPC	プラセボ対照、ADT併用	n=1,068	症例組み入れ終了

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



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

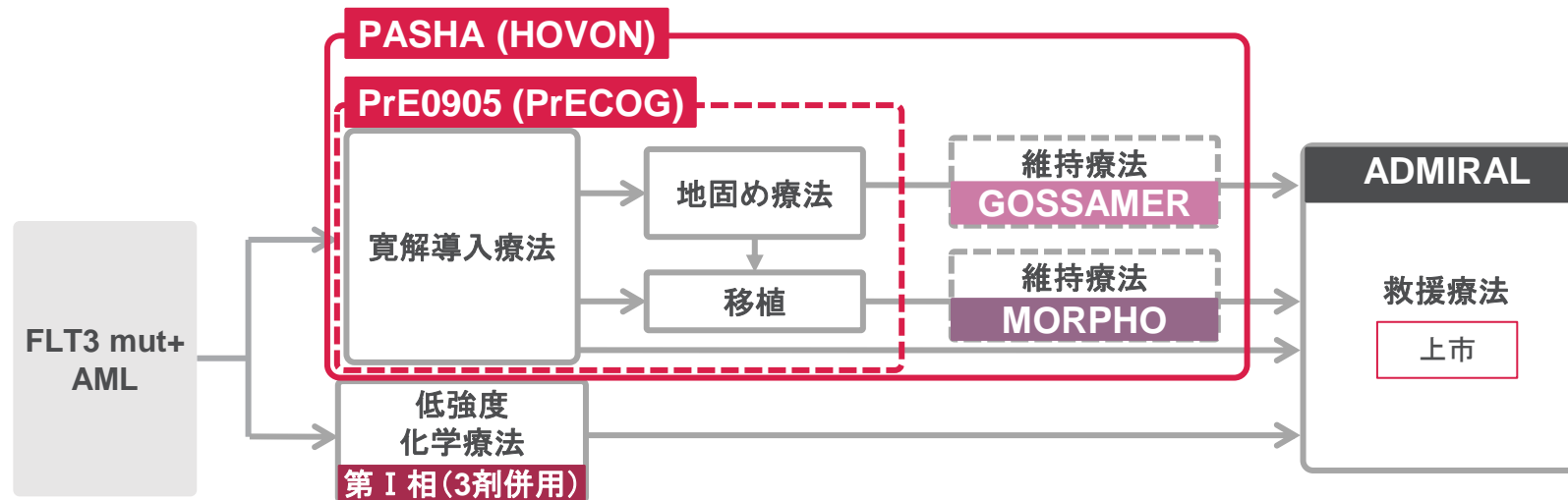
病期	早期			後期		
	去勢感受性(CSPC)			去勢抵抗性(CRPC)		
	M0	M1		M0	M1 (化学療法歴なし)	M1 (化学療法歴あり)
第Ⅲ相試験	EMBARK	ARCHES	ENZAMET	PROSPER	PREVAIL	AFFIRM
対照	プラセボ	プラセボ	従来の非ステロイド性 抗アンドロゲン剤	プラセボ	プラセボ	プラセボ
主要評価項目	MFS (試験進行中)	✓ rPFS HR 0.39	✓ OS HR 0.67	✓ MFS HR 0.29	✓ rPFS HR 0.17 ✓ OS HR 0.71*	✓ OS HR 0.63
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	✓ 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



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)



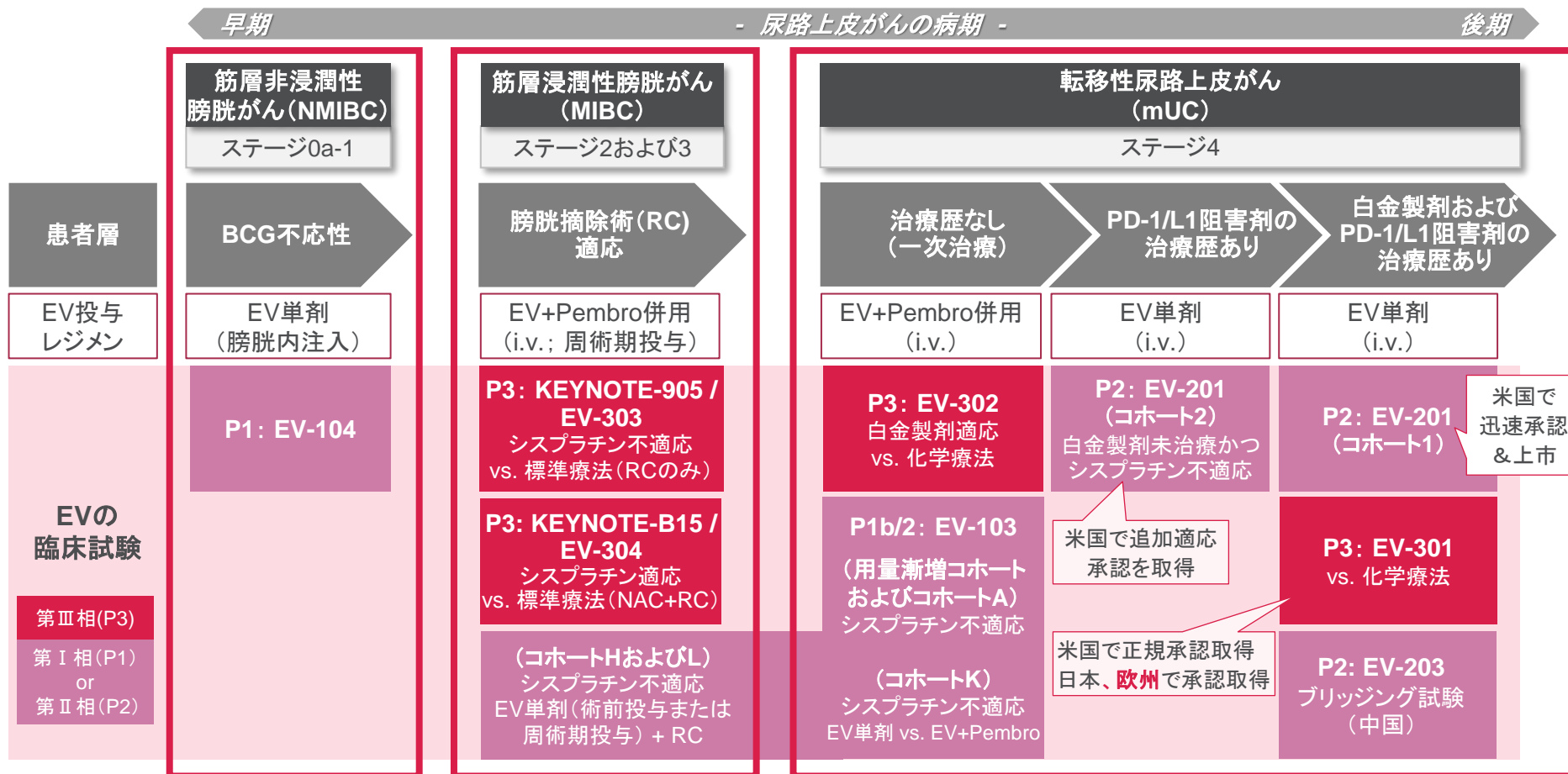
再発または難治性	第Ⅲ相: ADMIRAL	単独療法と救済療法との比較 (2:1)	n=371	米国・日本・欧州で上市
未治療 (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相: PASHA (HOVON)	強力な化学療法との併用、 ギルテリチニブとミドスタウリンの 比較 (1:1)	n=768	FSFT: 2019年12月 (治験依頼者: HOVON)
	第Ⅱ相: PrE0905 (PrECOG)		n=179	FSFT: 2019年12月 (治験依頼者: PrECOG, LLC)
造血幹細胞移植後の 維持療法	第Ⅲ相: MORPHO	単独療法とプラセボとの比較 (1:1)	n=346	症例組み入れ終了、BMT-CTNと共同
化学療法後の維持療法	第Ⅱ相: GOSSAMER	単独療法とプラセボとの比較 (2:1)	n=98	試験データを2022年4月の米国がん学会 (AACR) で発表
未治療 (強力な化学療法不適応)	第Ⅰ相	ベネトクラクスおよびアザシチジン との併用	TBD	2022年10-12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



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	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	治療歴がなく白金製剤適応のmUC; EV + Pembro vs. 化学療法	n=860	FSFT: 2020年4月
第Ⅲ相: EV-303 /KEYNOTE-905	シスプラチン不適応のMIBC; Pembro +/- EV(周術期)+ RC vs. RCのみ	n=836	FSFT(EV + Pembro併用群): 2020年12月
第Ⅲ相: EV-304 /KEYNOTE-B15	シスプラチン適応のMIBC; EV+Pembro(周術期投与) + RC vs. 化学療法(術前投与) + RC	n=784	FSFT: 2021年5月
第Ⅱ相: EV-201	PD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC; EV単剤 コホート1: 白金製剤治療歴あり コホート2: 白金製剤未治療かつシスプラチン不適応	n=219	コホート1: 2019年12月に米国で承認取得 (迅速承認プログラムに基づく)・上市 コホート2: 2021年7月に米国で追加適応承認取得
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	コホートA - G および K(mUC) A-G: EVとPembroの併用、EVと他の化学療法の併用 K: EV単剤 vs. EV + Pembro コホートH、J および L(シスプラチン不適応MIBC; RC適応): H: EV単剤(術前投与) J(オプション): EV+Pembro(術前投与) L: EV単剤(周術期投与)	n=457	コホートK: 2021年10月に症例組み入れ完了 コホートL: 症例組み入れ中 EVとPembroの併用をシスプラチン不適応患者における一次治療として評価したコホートKおよび他コホートのデータが、米国での迅速承認プログラムに基づく申請をサポートする可能性あり
第Ⅱ相: EV-203	<ブリッジング試験(中国)> 白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC; EV単剤	n=40	FSFT: 2021年8月
第Ⅰ相: EV-104	BCG不応性の高リスクNMIBC; EV単剤を膀胱内注入	n=58	FSFT: 2022年1月

その他の種類の固形がん

第Ⅱ相: EV-202	ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん、トリプルネガティブ乳がん、 扁平上皮非小細胞肺癌、非扁平上皮非小細胞肺癌、 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; EV単剤	n=280	FSFT: 2020年3月
----------------	--	-------	---------------



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		
	シスプラチン 適応	シスプラチン 不適応	白金製剤 適応	シスプラチン不適応		白金製剤未治療 かつ シスプラチン不適応	白金製剤の治療歴あり	
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2	Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK	EV-103 コホートA & 用量漸増コホート	EV-201 コホート2	EV-201 コホート1	EV-301
症例数	784(2群)	836(3群)	860(2群)	150(2群)	45	89	125	608(2群)
EV投与 レジメン	Pembro併用 (周術期投与)	Pembro併用 (周術期投与)	Pembro併用	単剤 vs. Pembro併用	Pembro併用	単剤	単剤	単剤
対照	化学療法 (術前投与)	標準療法	化学療法	n/a	n/a	n/a	n/a	化学療法
主要 評価項目	pCR & EFS	pCR & EFS	PFS & OS	ORR	✓ ORR 73% ** (CR 16% **)	✓ ORR 51% ** (CR 22% **)	✓ ORR 44% (CR 12%)	✓ OS HR 0.70 *
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (26.1カ月 **)	✓ (14.7カ月)	✓ (12.4カ月**)	✓ HR 0.70 * (12.9カ月 vs.9カ月)
無増悪生存 期間(PFS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (12.3カ月 **)	✓ (5.8カ月)	✓ (5.8カ月)	✓ HR 0.62 * (5.6カ月 vs.3.7カ月)
客観的奏効率 (ORR)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 73% ** (CR 16% **)	✓ 52% (CR 20%)	✓ 44% (CR 12%)	✓ 41% vs.18% * (CR 4.9% vs.2.7%)
奏効期間 (DoR)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 25.6カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.39カ月 vs. 8.11カ月 *

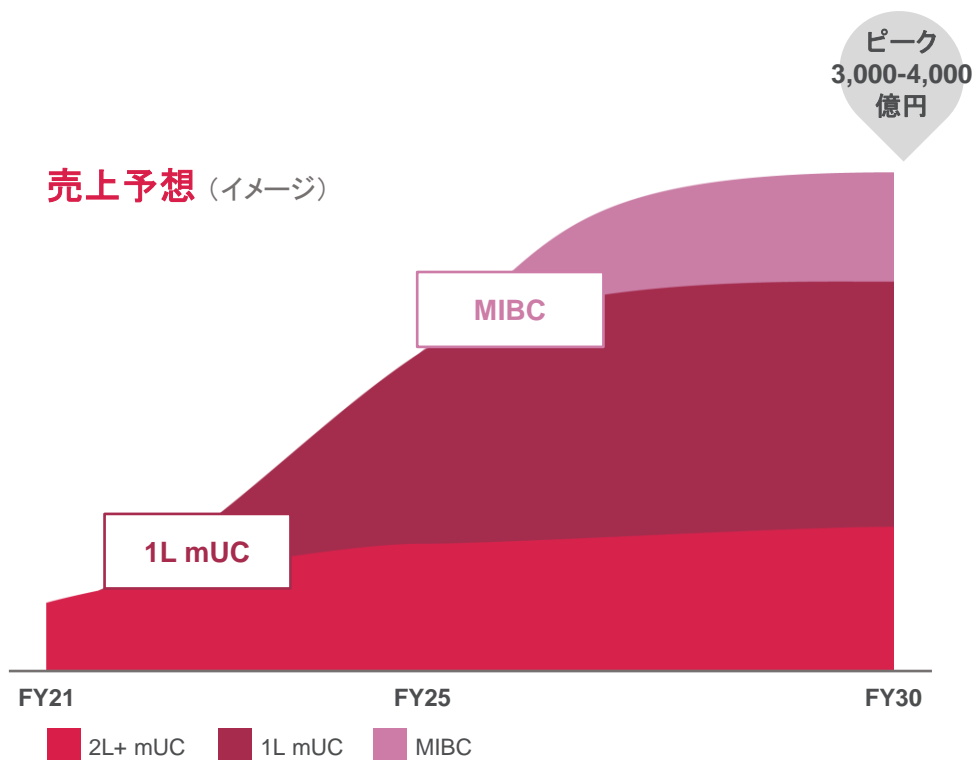
✓: 結果入手済、*: 事前に設定した中間解析、**: 最新結果



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

売上予想 (イメージ)



<承認取得済み/開発後期段階>

患者層	ピポタル試験 (パドセブ用法)	申請予定時期
MIBC シスプラチン不適応	EV-303 / KEYNOTE-905 (ペムブロリズマブとの併用)	2025年度以降
MIBC シスプラチン適応	EV-304 / KEYNOTE-B15 (ペムブロリズマブとの併用)	2025年度以降
mUC 治療歴なし (一次治療)	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] (ペムブロリズマブとの併用)	2024年度 2022年度 [米国迅速 承認申請]
mUC PD-1/L1 阻害剤による 治療歴あり、かつ シスプラチン不適応	EV-201 コホート2 [第 II 相] (単剤)	承認取得済み
mUC 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)	承認取得済み

<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



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33-37%で、Claudin 18.2の高発現が認められる
 - ✓ 原発性膵臓腺がん患者の約60%で発現、そのうち約20%が進行中の第Ⅱ相試験の組入れ基準に合致すると推定

胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん

- 対象となる患者層：
HER2陰性・Claudin 18.2高発現の局所進行性または転移性胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん
- 転移性胃がんは、ステージ4における5年生存率が4%以下で、治療オプションも限られている、アンメットニーズが非常に高い疾患である

胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん	第Ⅲ相： SPOTLIGHT	一次治療、mFOLFOX6との併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=550	症例組み入れ終了(2022年2月)
	第Ⅲ相： GLOW	一次治療、CAPOXとの併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=500	症例組み入れ終了(2022年2月)
	第Ⅱ相： ILUSTRO	コホート1：三次以降の治療、ゾルベツキシマブ単剤 コホート2：一次治療、mFOLFOX6との併用 コホート3：三次以降の治療、ペムプロリズマブとの併用 コホート4：一次治療、mFOLFOX6およびニボルマブとの併用	n=116	FSFT：2018年9月
膵臓腺がん	第Ⅱ相	一次治療、nab-パクリタキセルおよびゲムシタビンとの併用、非盲検	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いまだ一定数存在する

米国および欧州

第Ⅲ相: SKYLIGHT 1	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 12週: 二重盲検、30 mg、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=527	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトップライン結果)。52週データを入手
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	40週: 実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=501	主要評価項目を達成(12週二重盲検期間のトップライン結果)。52週データを入手
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	閉経に伴うVMSを有する患者 52週: 二重盲検、30 mg、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=1,831	2022年3月に52週データを入手
第Ⅲb相: DAYLIGHT	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有するHRT不適応の患者 24週: 二重盲検、45 mg vs. プラセボ(1:1)	n=440	FSFT: 2021年11月

アジア(日本を除く)

第Ⅲ相: MOONLIGHT 1	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 12週: 二重盲検、30 mg vs. プラセボ(1:1) 12週: 実薬継続投与、30 mg	n=302	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	閉経に伴うVMSを有する患者; 非盲検、30 mg を52週投与	n=150	症例組み入れ終了

日本

後期第Ⅱ相: STARLIGHT	軽度から重度のVMSを有する閉経前後の患者 12週: 二重盲検、2用量 vs. プラセボ(1:1:1)	n=135	FSFT: 2021年11月
------------------	--	-------	----------------



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)

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

変化する医療の最先端へ

