

# 2022年度第3四半期決算概況



2023年2月6日  
アステラス製薬株式会社  
専務担当役員 財務担当  
菊岡 稔

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 2022年度第3四半期 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

# 2022年度第3四半期業績の概要

売上収益は前同比較で17%増加。2Qに見直した通期予想に沿った進捗

- XTANDIおよび重点戦略製品はグローバルで通期予想に沿った推移
  - XTANDI:米国は通期予想に沿った進捗
  - 重点戦略製品:パドセブは2Qに上方修正した通期予想に沿った進捗

## 費用項目

- 売上原価率は想定通り
- 販管費は通期予想に沿って進捗し、為替の影響を除くと前同比較で減少
- 研究開発費は通期予想に沿った使用

## 営業利益

- コア営業利益は前同比較で6%増加。通期予想に沿った推移
- フルベースは、当3Qにルーブル安および円高による為替差損が発生し、通期予想を下回る推移

# 2022年度第3四半期業績


(億円)	21年度3Q	22年度3Q	増減額	増減率	2022年度 通期予想*	進捗率	為替の影響
売上収益	9,923	11,644	+1,721	+17.3%	15,290	76.2%	+1,352億円
売上原価	1,941	2,261	+320	+16.5%			+133億円(21年度3Qに残る 未実現利益消去の影響+33億 円を含む)
売上収益比率	19.6%	19.4%	-0.1 ppt				
販管費	4,064	4,710	+646	+15.9%	6,420	73.4%	+641億円
内、米国XTANDI共同販促費用	1,087	1,382	+295	+27.2%	1,860	74.3%	
上記を除く販管費	2,977	3,327	+350	+11.8%	4,560	73.0%	+384億円
研究開発費	1,776	2,061	+284	+16.0%	2,780	74.1%	+230億円
無形資産償却費	202	292	+89	+44.1%			
無形資産譲渡益	241	2	-239	-99.1%			
コア営業利益	2,200	2,337	+136	+6.2%	2,900	80.6%	+348億円
<b>&lt;フルベース&gt;</b>							
その他の収益	42	25	-17	-40.2%			
その他の費用	549	549	+0	+0.0%			
営業利益	1,694	1,813	+119	+7.0%	2,690	67.4%	
税引前四半期利益	1,674	1,802	+128	+7.7%	2,670	67.5%	
四半期利益	1,325	1,448	+123	+9.3%	2,080	69.6%	

参考  
(その他の費用):  
AT702、AT751、AT753  
関連減損損失:232億円  
fezolinetant条件付対価  
公正価値増加:134億円  
為替差損:67億円(2Q時点  
では為替差益139億円)  
Xyphos条件付対価公正価値  
増加:40億円

\*2022年10月公表

# 2022年度第3四半期業績と今後の見通し: XTANDI




2Qに見直した通期予想に沿った推移、通期予想の6,700億円の達成を見込む

	22年度3Q実績	前同比	通期予想*	進捗率	
 Xtandi® (enzalutamide)	5,119億円	+1,003(+24%) 〔為替の影響を除く +325(+8%)〕	6,700 前期比 (+25%)	76%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバル売上は2Qに見直した通期予想に沿った推移</li> <li>✓ 全ての地域で通期予想通りの着地を見込む</li> <li>✓ 為替の影響を除いても二桁近い成長、通期予想の達成を見込む</li> </ul>
米国 (\$ベース)	\$1,972M	+30(+2%)	\$2,618M (+6%)	75%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 下方修正した通期予想に沿った推移、厳しい市場環境が続いている                             <ul style="list-style-type: none"> <li>• PAPと競合後発品が引き続き高い水準</li> <li>• 新規患者数はCOVID-19以前の水準に戻っていない</li> </ul> </li> <li>✓ 今後の成長ドライバーであるM0 CSPPCの試験結果(EMBARK)を4Qに見込み、承認取得後は成長トレンドへの後押しを期待</li> </ul>
エスタブリッシュド マーケット (€ベース)	€1,067M	+101(+11%)	€1,403M (+10%)	76%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 大きく上方修正した通期予想に沿った推移</li> <li>✓ ドイツやイタリア、カナダを中心に、引き続きM1 CSPPCの処方が伸長し、物量が大きく拡大(物量前同比+22%)</li> </ul>
日本	423億円	+58(+16%)	554 (+17%)	77%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 上方修正した通期予想に沿った推移</li> <li>✓ 承認となっている全ての適応症においてシェアが拡大、No.1シェアを維持</li> </ul>
グレーターチャイナ	98億円	+43(+79%)	123 (+56%)	80%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 出荷の前倒しの影響により3Qまでは上振れて推移</li> </ul>
インターナショナル マーケット	406億円	+129(+47%)	480 (+34%)	85%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 実需は想定通りに拡大、為替の影響により上振れて推移</li> <li>✓ 為替の影響を除くと通期予想通りの着地を見込む</li> </ul>

\*通期予想は2022年10月に修正、PAP:Patient Assistance Program(患者アクセスプログラム)、M0:非転移性、M1:転移性、CSPPC:去勢感受性前立腺がん  
 エスタブリッシュドマーケット:欧州、カナダ 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、オーストラリア、輸出売上等  
 (当第3四半期から、オーストラリアのコマーシャル区分をエスタブリッシュドマーケットからインターナショナルマーケットに変更。公表数字は当該変更を反映済み)

# 2022年度第3四半期業績と今後の見通し：重点戦略製品

パドセブとゾスパタは着実に拡大、通期予想通りの着地を見込む

	22年度3Q実績	前同比	通期予想*	進捗率	
 <b>PADCEV</b> enfortumab vedotin <small>Injection for IV infusion 20 mg &amp; 30 mg vials</small>	331億円	+185(+127%) <small>〔 為替の影響を除く 〕                      +139(+94%)</small>	454 <small>前期比                      (+109%)</small>	73%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 上方修正した通期予想通りの推移</li> <li>✓ 好調な欧州が、想定を若干下回る米国をカバーし、通期予想通りの着地を見込む</li> <li>✓ 本格的な売上拡大は、mUC一次治療の追加適応の承認取得後を見込む</li> </ul>
米国 (\$ベース)	\$161M	+35(+28%)	\$230M <small>(+32%)</small>	70%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 治験用製品の販売が想定を下回る、実需は想定線</li> <li>✓ 実需は着実に成長しているものの、通期予想を若干下回る着地を見込む</li> </ul>
エスタブリッシュドマーケット (€ベース)	€33M	+33	€40M	83%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 上方修正した通期予想を上回る推移、ドイツを中心に浸透が想定を上回る</li> <li>✓ 発売国が20カ国まで拡大し、保険償還が5カ国にて開始</li> </ul>
日本	63億円	+58	83 <small>(+372%)</small>	76%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 大きく上方修正した通期予想に沿った推移</li> <li>✓ 引き続き新規患者数は大きく増加、マーケットシェアも着実に拡大</li> </ul>
 <b>XOSPATA</b> gilteritinib 40mg tablets	363億円	+106(+41%) <small>〔 為替の影響を除く 〕                      +56(+22%)</small>	458 <small>(+34%)</small>	79%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 通期予想を上回る推移だが、米国の高い在庫水準が影響</li> <li>✓ 実需は想定線、通期予想通りの着地を見込む</li> </ul>
 <b>Evrenzo</b> roxadustat	24億円	+3(+15%)	50 <small>(+91%)</small>	48%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 下方修正した通期予想に対しても、予想を下回る推移</li> <li>✓ 欧州は発売・保険償還が進展しているものの、想定よりも遅れている                      12月にフランスで保険償還を取得、今後イタリアやスペインでも取得を見込む</li> </ul>

\*通期予想は2022年10月に修正、mUC:転移性尿路上皮がん  
 エスタブリッシュドマーケット:欧州、カナダ 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、オーストラリア、輸出売上等  
 (当第3四半期から、オーストラリアのコマーシャル区分をエスタブリッシュドマーケットからインターナショナルマーケットに変更。公表数字は当該変更を反映済み)

## 2022年度第3四半期業績：費用項目

売上原価率は想定通り

販管費は通期予想に沿って進捗し、為替の影響を除くと前同比較で減少

研究開発費は通期予想に沿って使用

コアベース：主要な費用項目の前同比較と対売上収益比率・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	16.5%増加	19.4% (前同-0.1ppt)	-	✓ 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	11.8%増加 (為替の影響を 除くと1.1%減少)	28.6% (前同-1.4ppt)	73.0%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバルでのコマーシャル要員最適化(前同比:約-80億円)</li> <li>✓ 成熟製品の費用削減(同:約-60億円)</li> <li>✓ 新製品の立ち上げ・発売準備費用の増加(同:約+80億円)</li> <li>✓ 費用削減は想定通り進捗。必要な投資は積極的に実施</li> <li>✓ 結果、通期予想に沿った使用</li> </ul>
研究開発費	16.0%増加 (為替の影響を 除くと3.1%増加)	17.7% (前同-0.2ppt)	74.1%	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 1Qにfezolinetantの申請時のPRVの使用に伴う一時費用(138億円)を計上</li> <li>✓ 上記費用を含めて通期予想に沿った使用</li> </ul>

フルベース：為替差損67億円を「その他の費用」として計上((2Q時点では為替差益(139億円))

為替差損の主な発生要因:対ユーロでのルーブル安の影響(約100億円)、対ドルでの円高の影響(約90億円)など



## 2022年度 通期業績の見通し

- コアベース:売上収益・コア営業利益は通期予想に沿った着地を見込む。通期予想は修正しない
  - 売上収益:XTANDIおよび重点戦略製品は通期予想通りの着地を見込む
  
- フルベース:通期予想を下方修正
  - 当3Qに「その他の費用」を計上
    - ・ 為替差損(67億円)(2Q時点では為替差益(139億円))
    - ・ Xyphos社由来プログラムの開発計画の見直しに伴う条件付対価に係る公正価値の増加(40億円)
  - ゾルベツキシマブについて第Ⅲ相試験で主要評価項目を達成し、今後グローバルで申請に向けた意思決定を行う予定。結果、4Qに条件付対価に係る公正価値の増加(400億円強)を「その他の費用」として認識することを見込み、フルベースの利益段階は下方修正

(億円)	前回予想 (2022年10月公表)	最新予想 (2023年2月公表)	差異
営業利益	2,690	1,950	-740
当期利益	2,080	1,500	-580

# 本日の内容

10

I 2022年度第3四半期 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：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				<div style="background-color: #f08080; padding: 2px;">EMBARK試験TLR<sup>1</sup></div> <div style="background-color: #f08080; padding: 2px;">China ARCHES試験TLR<sup>1</sup></div>
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ		★ 7月 EV-103試験コホートK TLR ★ 8月 EV-203試験TLR(治療歴のあるmUC、中国)		★ 12月 申請受理(1L mUC、米国) 4月 審査終了目標日 (PDUFA date)
ゾルベツキシマブ	★ 6月	★ 7月 EV-202試験初回TLR	★ 11月 SPOTLIGHT試験TLR ★ 12月 GLOW試験TLR	
fezolinetant		★ 8月 申請受理(米国)	★ 9月 申請受理(欧州)	2月 審査終了目標日 (PDUFA date)
AT132			<div style="background-color: #808080; padding: 2px;">FDAの臨床試験差し止め(clinical hold)への回答提出</div>	

審査終了目標日 (PDUFA date)  
4月

▶ データ判明  
▶ その他  
★ 達成

<その他のアップデート(エンホルツマブ ベドチン)>

- EV-302試験(1L mUC)：2022年11月に症例組み入れ終了、2023年にトップライン結果<sup>1</sup>を入手予定
- EV-202試験(その他固形がん)：2022年11月に症例組み入れ終了、2023年前半に初回データを発表予定

2023年2月時点

1. TLRの時期はイベント発生に依存するため変動の可能性あり  
 TLR:トップライン結果、M0 CSPC:非転移性去勢感受性前立腺がん、1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、PDUFA:Prescription Drug User Fee Act、FDA:米国食品医薬品局



# ゾルベツキシマブ: 最新状況

2つの第Ⅲ相試験で主要評価項目を達成、グローバルでの上市を目指す

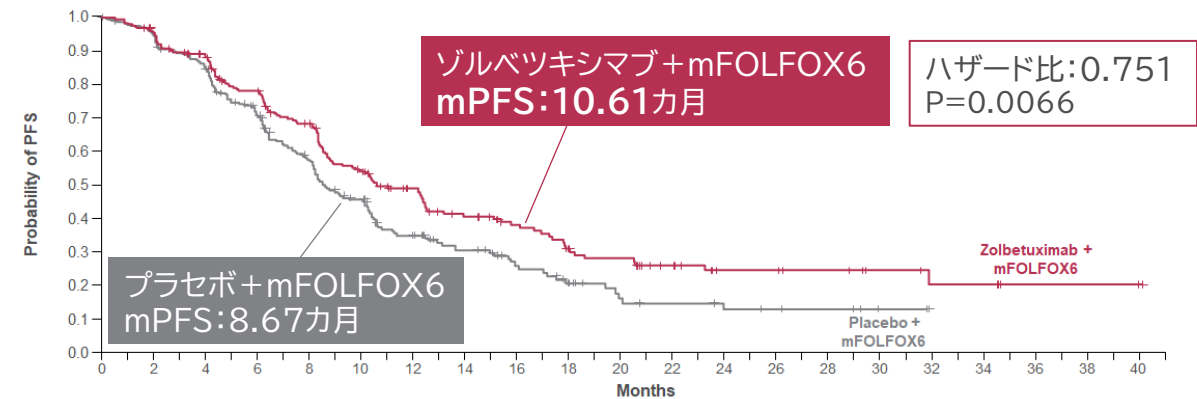
## 臨床試験

- 2つの第Ⅲ相試験でトップライン結果入手
  - SPOTLIGHT:mFOLFOX6との併用、vs. プラセボ
  - GLOW: CAPOXとの併用、vs. プラセボ
- 主要評価項目であるPFSと主な副次評価項目であるOSを達成
- SPOTLIGHT試験の結果を米国臨床腫瘍学会消化器癌シンポジウム(ASCO GI)で発表
  - ゾルベツキシマブとmFOLFOX6併用療法において、18カ月を超える全生存期間(中央値)

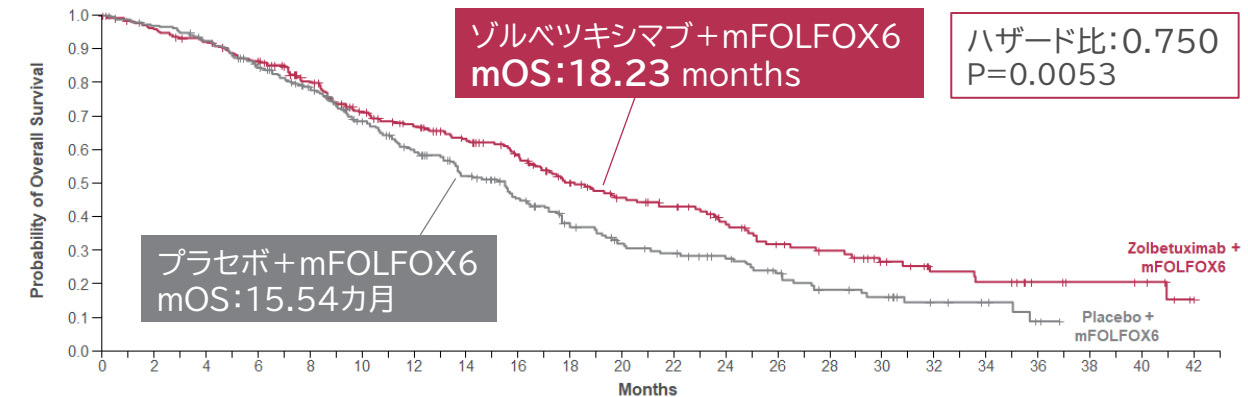
## 上市に向けた活動

- 両試験に基づく当局申請をグローバルで実施
  - 最初の承認申請は2023年度前半を予定
- Claudin 18.2の啓発活動が進行中
- コンパニオン診断薬はVentana Medical Systems/Rocheから販売予定

### <無増悪生存期間(PFS)>



### <全生存期間(OS)>



# Focus Areaアプローチの進展(1/3): 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 <sup>1</sup>	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	2023年1月にFDAからの臨床試験差し止め(clinical hold)解除
がん免疫	チェックポイント	ASP1570	第I相試験進行中
		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
	人工アジュバントバクテリヤ細胞(aAVC)	ASP0739	第I相試験進行中
		ASP9801	第I相試験進行中
	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	ASP2138	第I相試験進行中
		ASP2074	第I相試験を2022年度4Qに開始予定
		ASP1002	第I相試験を2022年度4Q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	第I相試験における症例スクリーニングを2022年8月に再開
	細胞補充(UDC)		
	遺伝子調節(AAV)		
ミトコンドリア	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP0367	PMM患者対象第II/III相試験進行中 DMD患者対象第I相試験を中止
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731	第I相試験進行中
	ミトコンドリア・トランスファー		
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	第I相試験進行中
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
- その他

1. 全てを列举していない

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

# Focus Areaアプローチの進展(2/3): AT845およびAT132の現況

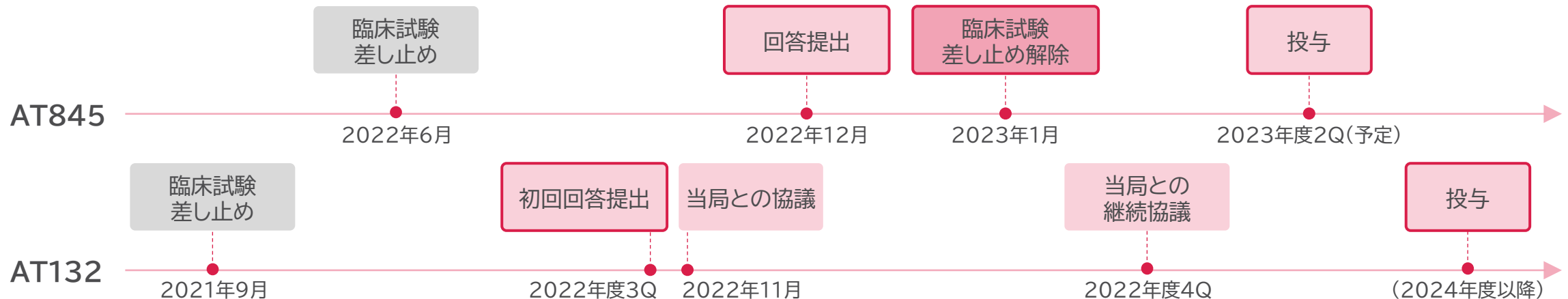
臨床試験の再開に向けた活動が進展中

## AT845 (対象疾患:ポンペ病)

- FDAからの臨床試験差し止め(clinical hold)が2023年1月に解除
  - プロトコル改訂
    - ・ ニューロパチーの既往歴あるいはリスク因子を有する被験者を除外
    - ・ 安全性モニタリングの追加
- 投与再開の目標時期:2023年度2Qを予定

## AT132 (対象疾患:XLMTM)

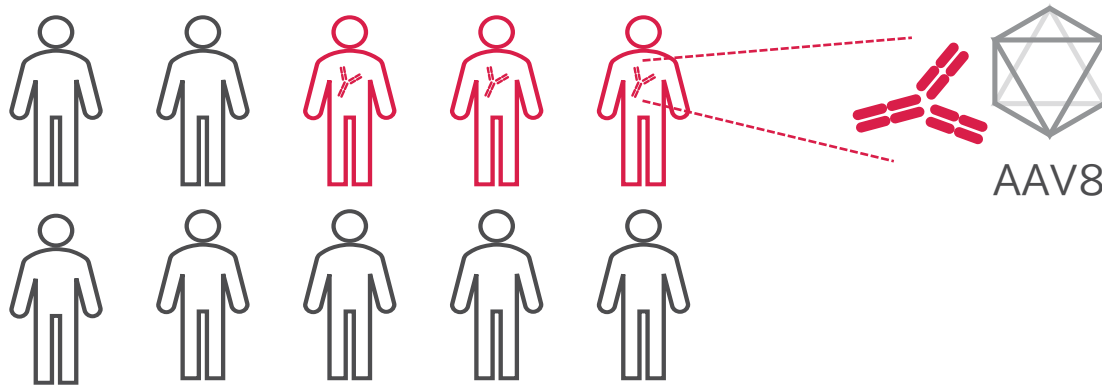
- FDAの臨床試験差し止めに対する初回の回答を2022年度3Qに提出
- 当局との建設的な協議を実施
  - FDA Type B meeting(2022年11月)
  - EMA PRIME meeting(2022年11月)
- 2022年度4Qも当局と継続して協議を実施予定
- 今後、当局からのフィードバックに基づき計画を更新



## AT845の対象患者層拡大を目指す取り組み

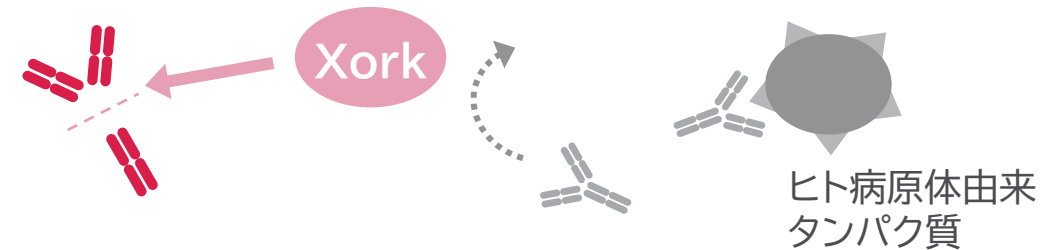
### 獲得済み免疫(PEI)

- PEIの保有者は、既にAAVに対するIgG抗体を獲得しているため、AAV遺伝子治療の対象となることができない
- 最大30%の成人がAAV8に対するPEIを保有していると推定<sup>1</sup>



### IdeXork(Xork)

- ヒトIgGを特異的かつ効率的に分解する次世代IgGプロテアーゼ(研究段階)
- ヒト病原体由来ではないため、ヒト血清中に存在する既存抗体との反応性が低く、効果が減弱されにくいと期待



- アステラスは、ポンペ病に関し、AT845と併用する用途において、Xorkを商業化する単独かつ独占的な権利を保有

# 経営計画2021達成に向けた進展

## 売上収益、パイプライン価値

**1** XTANDIおよび重点戦略製品:  
2025年度に1.2兆円以上

- ✓ 修正した通期予想に沿った売上推移
- ✓ パドセブ: 1L mUC米国承認申請受理
- ✓ ゾルバツキシマブ: 2つの第Ⅲ相試験でトップライン結果入手

**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

- ✓ AT845: 臨床試験差し止め解除
- ✓ 遺伝子治療: Selecta社との提携
- ✓ ASP1002: 臨床入り

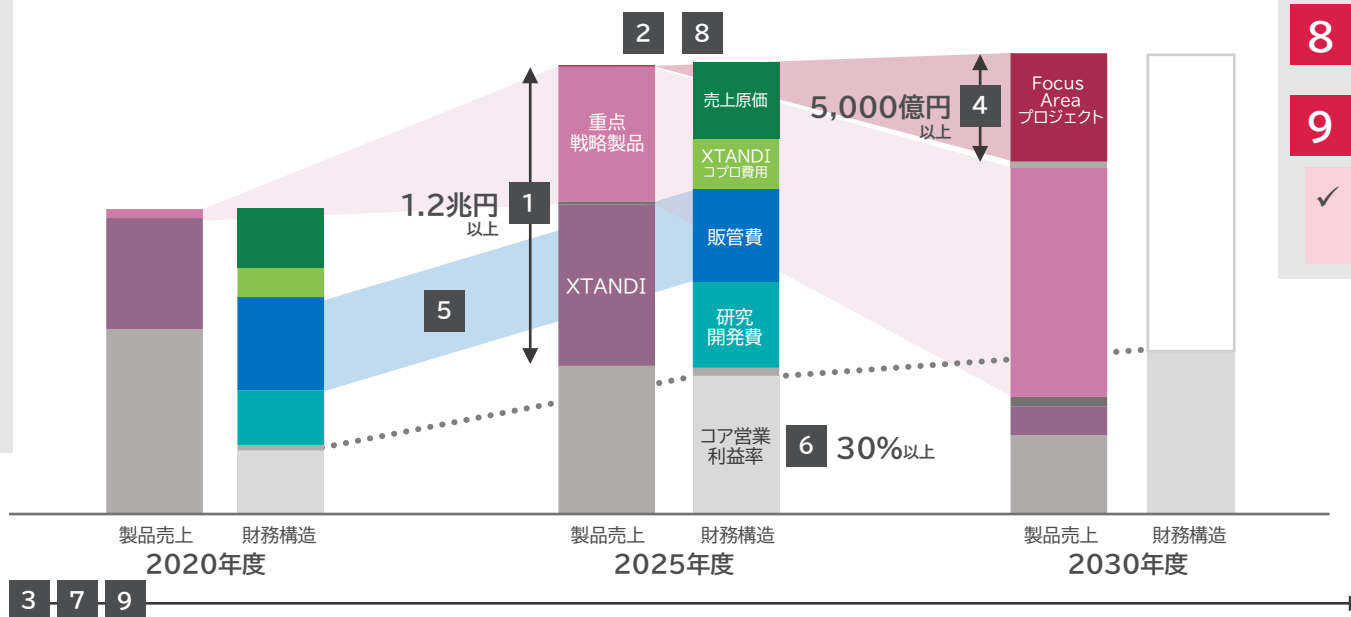
## コア営業利益

**5** 販管費は絶対額で維持

**6** 十分な研究開発投資  
コア営業利益率: 2025年度に30%以上

**7** 配当は安定的に向上

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



## 将来成長

**8** Rx+: 2025年度までにBreakeven

**9** サステナビリティ

- ✓ 温室効果ガス排出量削減目標改定、SBTイニシアチブ承認取得

重点戦略製品: パドセブ、ゾスパタ、ゾルバツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132  
1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、SBT: Science Based Targets




### サステナビリティ ミーティング

➤ 2月17日(金) 14:00-15:30

### fezolinetant Meeting

➤ 3月中旬

# 參考資料



# 棚卸資産の未実現利益消去に使用する為替レートの変更(補正值)

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

(億円)	会計期間							累計期間		
	21年度 1Q	21年度 2Q	21年度 3Q	21年度 4Q	22年度 1Q	22年度 2Q	22年度 3Q	21年度 3Q	22年度 3Q	前同比
売上収益	3,261	3,255	3,406	3,039	3,818	3,804	4,022	9,923	11,644	+17.3%
売上原価	610	632	666	545	761	755	744	1,908	2,261	+18.5%
売上収益比率	18.7%	19.4%	19.6%	17.9%	19.9%	19.9%	18.5%	19.2%	19.4%	+0.2ppt
販管費	1,371	1,334	1,359	1,424	1,534	1,546	1,630	4,064	4,710	+15.9%
内、米国XTANDI共同販促費用	345	366	376	306	431	465	486	1,087	1,382	+27.2%
上記を除く販管費	1,026	968	983	1,118	1,103	1,080	1,144	2,977	3,328	+11.8%
研究開発費	583	607	586	684	740	652	669	1,776	2,061	+16.0%
無形資産償却費	60	64	79	80	107	92	92	202	292	+44.1%
無形資産譲渡益	-	-	241	1	2	0	0	241	2	-99.1%
コア営業利益	641	618	975	292	681	773	883	2,234	2,337	+4.6%
(参考) コア営業利益への影響額*1	+12	-7	+28	+45	+128*2	-128	-	+33	-	-

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

# 2022年度第3四半期業績：地域別売上収益

(億円)	21年度 3Q	22年度 3Q	増減率
日本	2,032	2,045	+0.6%
米国	4,079	5,011	+22.8%
エスタブリッシュドマーケット	2,330	2,711	+16.4%
グレーターチャイナ	503	652	+29.4%
インターナショナルマーケット	892	1,052	+18.0%

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ 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、オーストラリア、輸出売上等  
(当第3四半期から、オーストラリアのコマーシャル区分をエスタブリッシュドマーケットからインターナショナルマーケットに変更。公表数字は当該変更を反映済み)

# 2022年度第3四半期業績：主要製品の売上

(億円)	21年度 3Q	22年度 3Q	増減率	為替の影響を 除いた増減率	2022年度 通期予想*
XTANDI	4,116	5,119	+24.4%	+7.9%	6,700
パドセブ	146	331	+126.9%	+94.4%	454
ゾスパタ	257	363	+41.1%	+21.7%	458
エベレンゾ	21	24	+15.0%	+13.3%	50
ミラベグロン	1,269	1,410	+11.1%	-2.8%	1,950
プログラフィ	1,411	1,516	+7.5%	-2.3%	2,003

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

\* 2022年10月公表



# 為替レート(実績)

## 期中平均レート

通貨	21年度3Q	22年度3Q	変動
ドル	111円	137円	25円安
ユーロ	131円	141円	10円安

## 期首-期末レートの変動

通貨	21年度3Q	22年度3Q
ドル	4円安	9円安
ユーロ	1円安	6円安

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益: 1,352億円の増加、コア営業利益: 348億円の増加

# 2022年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

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

2022年度3Q以降の為替レートの想定:1ドル140円、1ユーロ140円

## 2022年度修正予想の為替感応度(3Q以降)の概算値

通貨	期中平均レート 予想前提より1円安	
	売上収益	コア営業利益
ドル	約31億円増加	約5億円増加
ユーロ	約14億円増加	約6億円増加

# バランスシートおよびキャッシュ・フローのハイライト

(億円)	22年3月末	22年12月末
総資産	23,324	25,139
現金及び現金同等物	3,160	3,818
親会社所有者帰属持分	14,603	15,704
親会社所有者帰属持分比率(%)	62.6%	62.5%

(億円)	21年度3Q	22年度3Q	21年度
営業CF	2,089	2,122	2,574
投資CF	-476	-618	-624
フリーCF	1,613	1,504	1,950
財務CF	-1,413	-911	-2,163
短期借入金及びCPの増減額	-400	-150	-300
社債発行及び長期借入れによる収入	-	500	-
自己株式取得	-7	-106	-507
配当金支払額	-852	-1,004	-852

社債(CPを含む)および借入金残高: 1,750億円



# キャピタルアロケーション

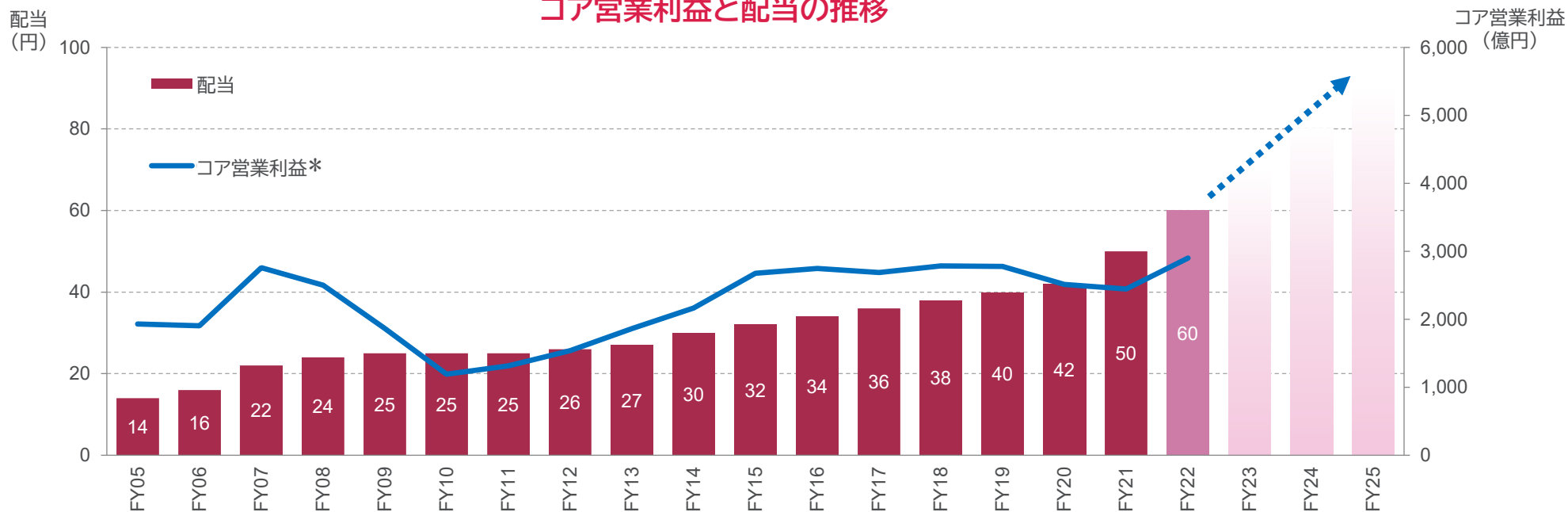
① 成長を実現するための  
事業投資を最優先

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

## 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

## 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
- ASP1570
- ASP2138
- ASP2074
- ASP1002
- ASP7317
- bocidelpar/ASP0367 (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)
- ASP8731
- AT845
- ASP3082
- ASP0598
- ASP8062

## 第II相

- エンホルツマブ ベドチン (その他の種類の固形がん)
- ゾルバツキシマブ (膵臓腺がん)
- fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状:日本)
- resamirigene bilparvovec / AT132 (XLMTM)
- ASP7517 (AMLおよびMDS)
- bocidelpar / ASP0367 (原発性ミトコンドリアミオパチー)
- FX-322 (感音難聴)
- isavuconazole (小児:米国)

## 第III相

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

## 申請

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

- XTANDIおよび重点戦略製品 (パドセブ、ゾスパタ、ゾルバツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132)
- Focus Areaアプローチ
- その他

# 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

27

第 I 相入り

第 II 相入り

第 III 相入り

申請

承認

ASP1002

がん

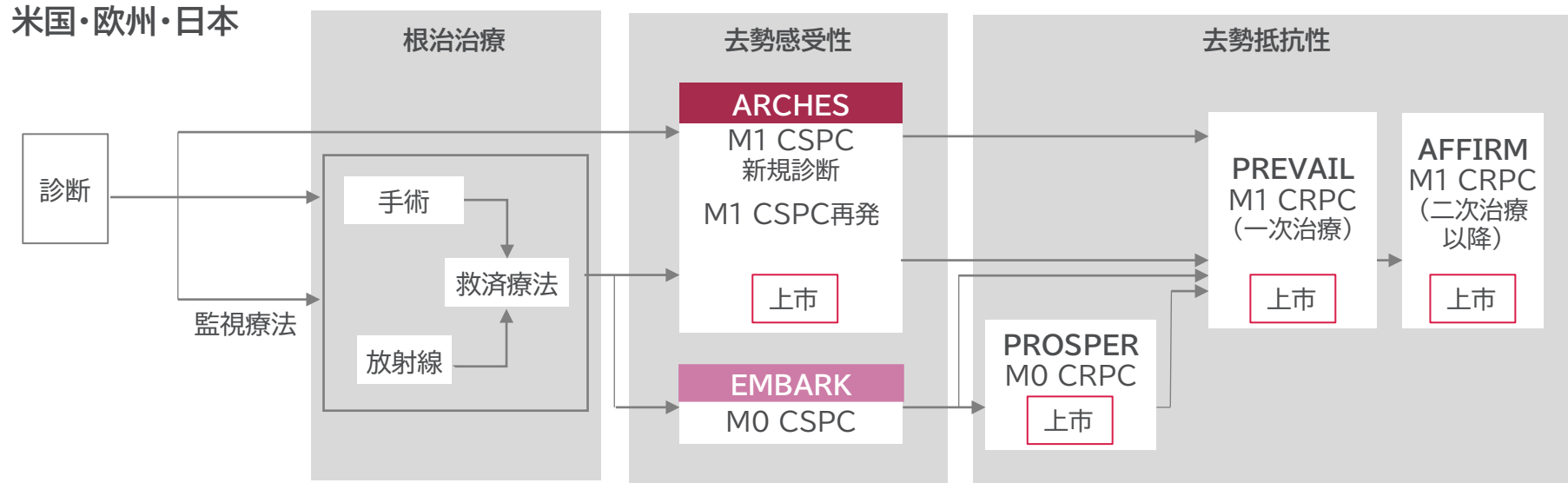
注) 第 I 相入り: 治験許可申請 (IND) / 治験届の承認  
次相への進展: 社内の意思決定機関における決定  
申請: 当局への申請書類の提出  
開発中止: 社内の意思決定機関における決定

# 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"> <li>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</li> <li>中国: 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)</li> </ul>
	M0 CSPC	<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>
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"> <li>治療歴なし(一次治療): 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)。米国で追加適応の承認申請が2022年12月に米国で受理</li> <li>中国: 第Ⅱ相ブリッジング試験のトップライン結果を2022年8月に入手</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</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(症例組み入れ終了)</li> </ul>
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"> <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(強力な化学療法適応)	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅲ相試験進行中</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相試験を2022年度4Qに開始予定</li> </ul>
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"> <li>第Ⅲ相SPOTLIGHTおよびGLOW試験のトップライン結果をそれぞれ2022年11月および2022年12月に入手。SPOTLIGHT試験のデータを2023年1月の米国臨床腫瘍学会消化器癌シンポジウム(ASCO GI)で発表</li> </ul>
	膵臓腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験進行中</li> </ul>
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国・欧州: 米国で新薬承認申請が2022年8月に受理。欧州で販売承認申請が2022年9月に受理。第Ⅲ相DAYLIGHT試験進行中(症例組み入れ終了)</li> <li>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</li> <li>日本: 後期第Ⅱ相STARLIGHT試験のLSLVを2022年12月に達成</li> </ul>
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"> <li>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)</li> </ul>

# エンザルタミド：アンドロゲン受容体阻害剤(1/2)



第Ⅲ相: ARCHES	<a href="#">NCT02677896</a>	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9月に米国で承認取得、2022年3月にCHMPが承認勧告を採択
第Ⅲ相: EMBARK	<a href="#">NCT02319837</a>	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(NCT04076059)の症例組み入れ終了



## エンザルタミド(2/2): 病期別第Ⅲ相試験データ

早期前立腺がんにおいても薬効を示す

- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

病期	早期			後期		
	去勢感受性(CSPC)			去勢抵抗性(CRPC)		
	M0	M1		M0	M1 (化学療法歴なし)	M1 (化学療法歴あり)
第Ⅲ相試験	EMBARK	ARCHES	ENZAMET	PROSPER	PREVAIL	AFFIRM
対照	プラセボ	プラセボ	従来の非ステロイド性抗アンドロゲン剤	プラセボ	プラセボ	プラセボ
主要評価項目	MFS (試験進行中)	✓ rPFS HR 0.39	✓ OS HR 0.67	✓ MFS HR 0.29	✓ rPFS HR 0.17 ✓ OS HR 0.71*	✓ OS HR 0.63
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	✓ HR 0.66	✓ HR 0.67	✓ HR 0.73	✓ HR 0.77	✓ HR 0.63
投与期間 (DoT)	(試験進行中)	✓ 40.2カ月	✓ 29.5カ月	✓ 33.9カ月	✓ 17.5カ月	✓ 8.3カ月

✓: 結果入手済、\*: 事前に設定した中間解析

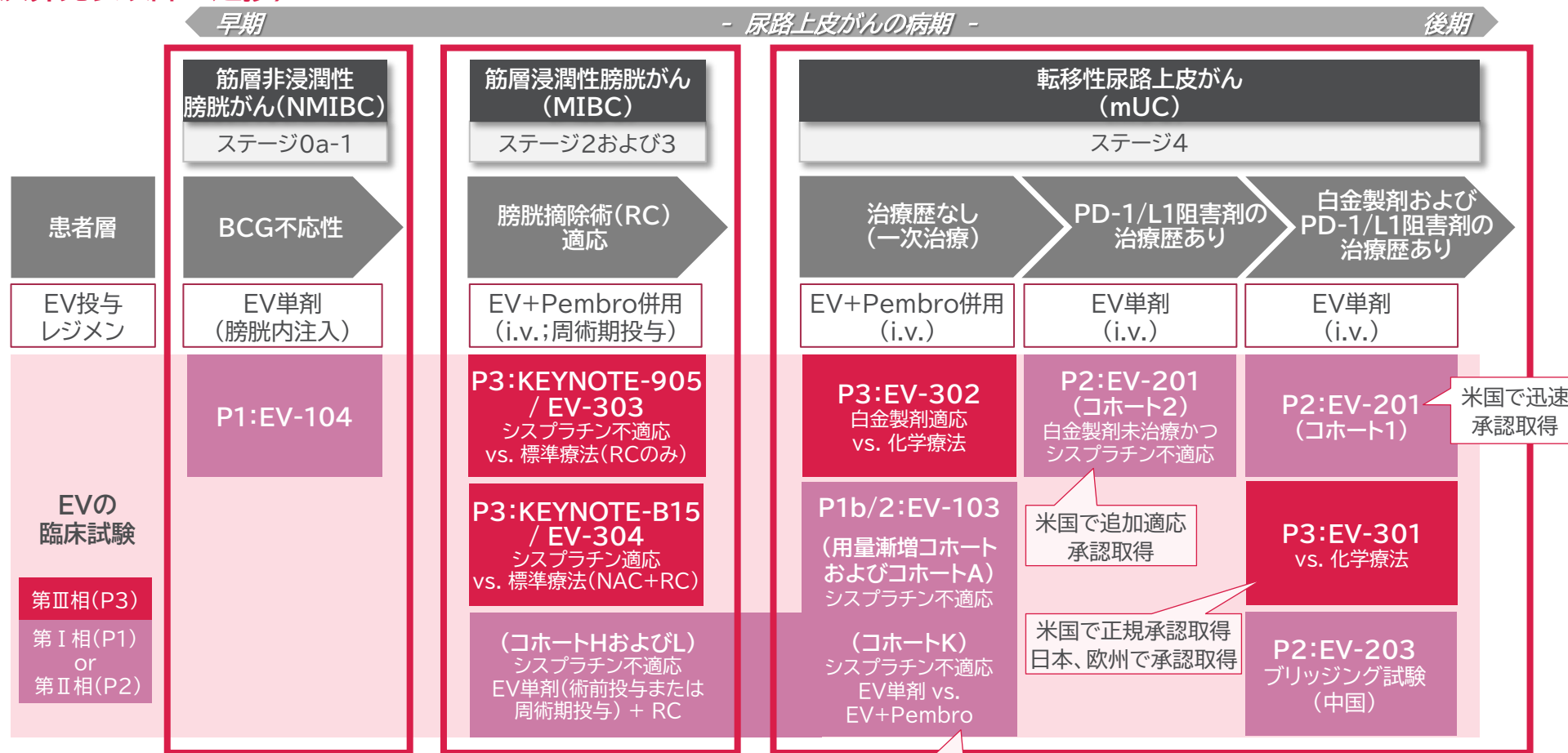


M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、CRPC: 去勢抵抗性前立腺がん、MFS: 無転移生存期間、rPFS: 画像診断上の無増悪生存期間、HR: ハザード比



# 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)



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	症例組み入れ終了
第Ⅲ相:EV-303 /KEYNOTE-905	NCT03924895	シスプラチン不適応のMIBC; Pembro +/- EV(周術期) + RC vs. RCのみ	n=857	FSFT(EV + Pembro併用群):2020年12月
第Ⅲ相:EV-304 /KEYNOTE-B15	NCT04700124	シスプラチン適応のMIBC; EV+Pembro(周術期投与) + RC vs. 化学療法(術前投与) + RC	n=784	FSFT:2021年5月
第Ⅱ相:EV-201	NCT03219333	PD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC;EV単剤 コホート1:白金製剤治療歴あり コホート2:白金製剤未治療かつシスプラチン不適応	n=219	コホート1:2019年12月に米国で承認取得 (迅速承認プログラムに基づく) コホート2:2021年7月に米国で追加適応承認取得
第Ⅰb/Ⅱ相: EV-103	NCT03288545	コホートA-GおよびK(mUC) A-G:EVとPembroの併用、EVと他の化学療法の併用 K:EV単剤 vs. EV + Pembro コホートH、J および L(シスプラチン不適応MIBC; RC適応): H:EV単剤(術前投与) J(オプション):EV + Pembro(術前投与) L:EV単剤(周術期投与)	n=457	コホートKおよび他コホート:2022年12月に米国で追加適応の 承認申請が受理 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	2022年8月にトップライン結果を入手
第Ⅰ相:EV-104	NCT05014139	BCG不応性の高リスクNMIBC;EV単剤を膀胱内注入	n=58	FSFT:2022年1月

## その他の種類の固形がん

第Ⅱ相: EV-202	NCT04225117	ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん、トリプルネガティブ乳がん、 扁平上皮非小細胞肺癌、非扁平上皮非小細胞肺癌、頭頸部がん、 胃腺がん・食道腺がんまたは食道胃接合部腺がん、 食道扁平上皮がん; EV単剤	n=280	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 & OS	✓ ORR 64% (CR 11%)	✓ ORR 45% (CR 4%)	✓ ORR 73% ** (CR 16% **)	✓ ORR 51% ** (CR 22% **)	✓ ORR 44% (CR 12%)	✓ OS HR 0.70 *
全生存期間(OS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (26.1カ月 **)	✓ (14.7カ月)	✓ (12.4カ月**)	✓ HR 0.70 * (12.9カ月 vs.9.0カ月)
無増悪生存期間(PFS)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ (12.3カ月 **)	✓ (5.8カ月)	✓ (5.8カ月)	✓ HR 0.62 * (5.6カ月 vs.3.7カ月)
客観的奏効率(ORR)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 64% (CR 11%)	✓ 45% (CR 4%)	✓ 73% ** (CR 16% **)	✓ 52% (CR 20%)	✓ 44% (CR 12%)	✓ 41% vs.18% * (CR 4.9% vs.2.7%)
奏効期間(DoR)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	(試験進行中)	✓ 13.2カ月	✓ 25.6カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.4カ月 vs. 8.1カ月 *

✓:結果入手済、\*:事前に設定した中間解析、\*\*:最新結果

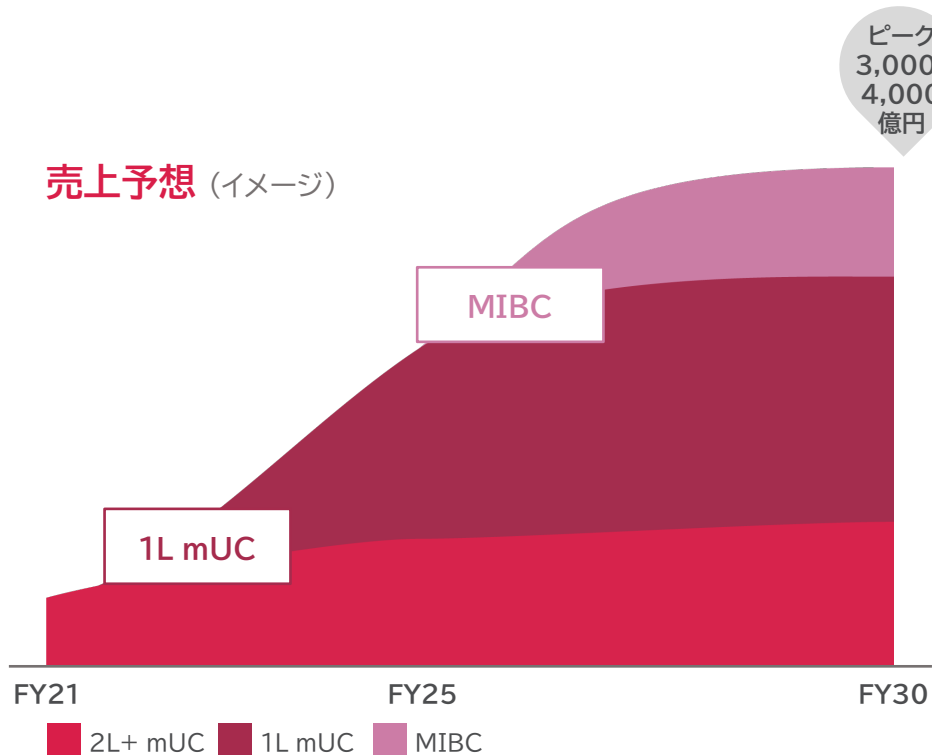


Cis:シスプラチン、Pembro:ペムプロリズマブ、pCR:病理学的完全奏効、EFS:無事象生存期間、CR:完全奏効、HR:ハザード比



# エンホルツマブ ベドチン(EV)(4/4): 今後の展望

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



## <承認取得済み/開発後期段階>

患者層		ピボタル試験 (パドセブ用法)	申請予定時期	対象患者数 <sup>1</sup>
MIBC	Cis不適応	EV-303 (パンプロリズマブとの併用)	2025年度以降	10,000
	Cis適応	EV-304 (パンプロリズマブとの併用)	2025年度以降	37,000
1L mUC		EV-302 EV-103コホート [第I b/II相; 米国迅速承認申請] (パンプロリズマブとの併用)	2024年度 2022年度 [米国迅速承認申請]	76,000 (うち米国 Cis不適応: 8,000)
2L + mUC	PD-1/L1 阻害剤による 治療歴あり、 かつCis不適応	EV-201 コホート2 [第II相] (単剤)	承認取得済	1,600 (米国、 Cis不適応)
	白金製剤 およびPD- 1/L1 阻害剤による 治療歴あり	EV-301 EV-201 コホート 1 [第II相; 米国迅速承認] (単剤)	承認取得済	38,000

## <開発初期段階>

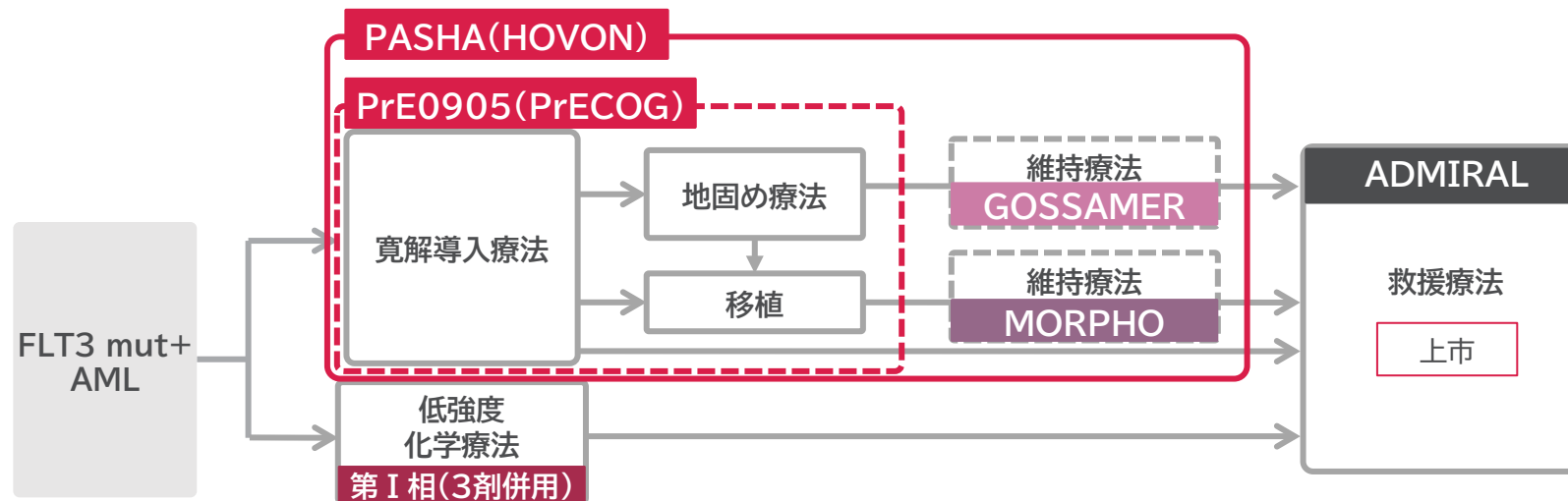
患者層	試験 (パドセブ用法)
NMIBC BCG不応性、 高リスク	EV-104 [第I相] (単剤、膀胱内注入)
その他固形がん	EV-202 [第II相]* (単剤)

\* ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん、トリプルネガティブ乳がん、扁平上皮非小細胞肺癌、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



1. アステラスによる算定; グローバル  
mUC: 転移性尿路上皮がん、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん、1L: 一次治療、2L+: 二次治療以降、Cis: シスプラチン、BCG: カルメット・ゲラン桿菌

# ギルテリチニブ: FLT3阻害剤



再発または難治性	第Ⅲ相:ADMIRAL	<a href="#">NCT02421939</a>	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)	<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=768	FSFT:2019年12月(治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	<a href="#">NCT03836209</a>		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	<a href="#">NCT02997202</a>	単独療法とプラセボとの比較(1:1)	n=356	症例組み入れ終了、BMT-CTNと共同
化学療法後の維持療法	第Ⅱ相:GOSSAMER	<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	2022年度4Qに開始予定

- 中国
- 再発または難治性: ADMIRAL試験結果を基に2021年1月に条件付き承認取得(完全承認はCOMMODORE試験結果による)、2021年4月に上市。第Ⅲ相COMMODORE試験(中国および他の国々で実施)では、あらかじめ計画されていた中間解析の結果に基づき、有効性の観点で早期に症例組み入れを終了

# ゾルベツキシマブ: 抗Claudin 18.2モノクローナル抗体

(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	2022年11月にトップライン結果を入手
	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	2022年12月にトップライン結果を入手
	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	<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、処方には元に戻らず、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

## 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) 40週:実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=527	2022年8月に新薬承認申請が米国で受理 2022年9月に販売承認申請が欧州で受理
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	<a href="#">NCT04003142</a>		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	症例組み入れ終了

## アジア(日本を除く)

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) LSLV:2022年4月
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

後期第Ⅱ相: STARLIGHT	<a href="#">NCT05034042</a>	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	<b>LSLV:2022年12月</b>
---------------------	-----------------------------	---	-------	----------------------

1: DelveInsight, Epidemiology Forecast, June 2018, 2: Data Source - IMS NPA (2000-2016), IMS NSP (2000-2016).

(3 HTs and SSRI) NAMS 2015 Position Statement.

NAMS:North American Menopause Society(北米閉経学会)、LSLV:最終症例における最終観察

# AT132(resamirigene bilparvovec): rAAV8-Des-hMTM1

## AT132の特徴

- 2020年1月に買収したAudentes Therapeutics社の遺伝子治療パイプラインにおけるリードプログラム
- AAV8によりヒトMTM1遺伝子を骨格筋細胞に送達してミオチューブラリン酵素を発現するように設計
- 薬事関連認定:
  - ✓ <米国> RMAT(再生医療先進治療)指定、希少小児疾患指定、ファストトラック指定、オーファンドラッグ指定
  - ✓ <欧州> PRIME指定、オーファンドラッグ指定

## X連鎖性ミオチューブラーミオパチー(XLMTM)

- X染色体連鎖性の希少神経筋疾患であり、MTM1遺伝子の機能欠損変異が原因
  - ✓ 新生児男子4-5万人におよそ1人の割合で発生
  - ✓ 生後18カ月時点の推定生存率は約50%
  - ✓ 約60%の患者で、気管切開による侵襲的人工呼吸管理が最長24時間必要
  - ✓ 80%を超える患者で、人工呼吸器による補助が必要
  - ✓ 運動機能の発達が大幅に遅滞
  - ✓ 治療法は存在せず、支持療法のみ

ASPIRO  
(XLMTM患者対象の  
申請用臨床試験)

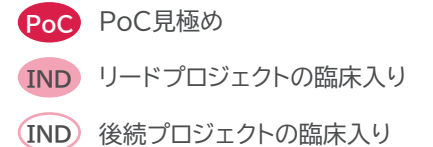
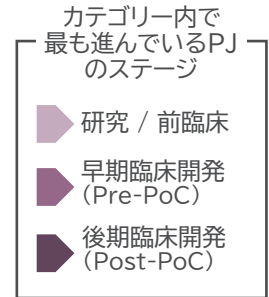
[NCT03199469](#)

n=26

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

# Focus Areaアプローチの進展: 主要プラットフォームの臨床コンセプト検証ならびにパイプラインの拡充

Primary Focus	バイオロジー / モダリティ / テクノロジー <sup>1</sup>	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 <sup>2</sup>
遺伝子治療	遺伝子置換(AAV)	AT132				4
		AT845		PoC見極め時期のアップデート検討中		
	遺伝子調節(AAV)					
がん免疫	チェックポイント	ASP1570	IND			12
	人工アジュバントベクター細胞(aAVC)	ASP7517	PoC			
	腫瘍溶解性ウイルス(腫瘍内投与)	ASP9801				
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)		IND			
	二重特異性免疫細胞誘導	ASP2138	IND	ASP2074, ASP1002		
	がん細胞医療(UDC)					
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317				3
	細胞補充(UDC)					
	遺伝子調節(AAV)					
ミトコンドリア	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP0367				4
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731				
	ミトコンドリア・トランスファー					
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	IND			1
Primary Focus 候補	細胞による免疫調節・制御					-
	組織特異的免疫応答制御					-
合計						24



1. 全てを列挙していない、2. 成功確率100%の前提で、標準の開発タイムラインに基づき算定(2023年2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

変化する医療の最先端へ

