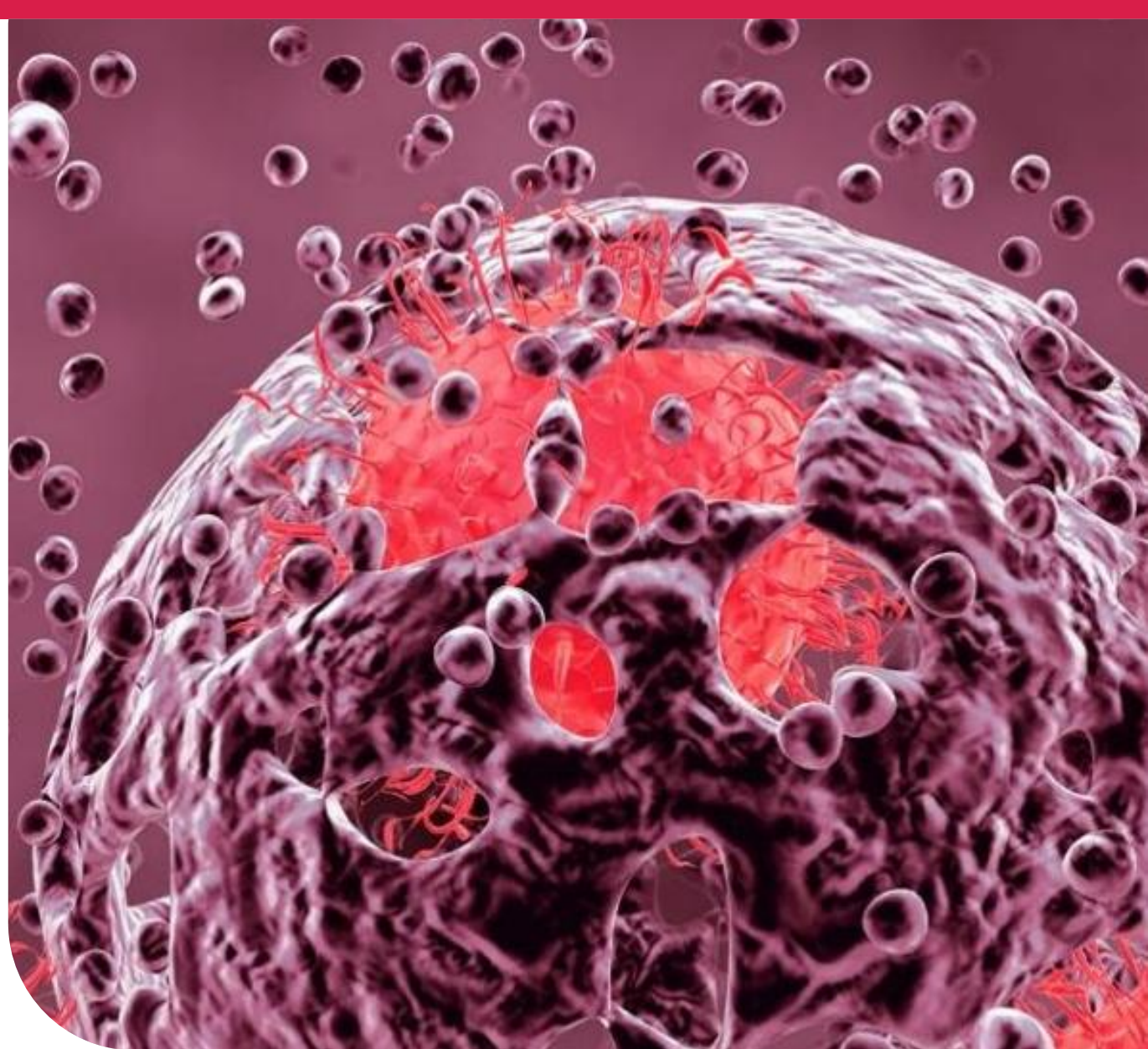




Astellas R&D Day

患者さんの明日を変えるため
最先端の科学を切り拓く

2026年3月31日



注意事項

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、既知および未知の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。

なお、本資料に含まれるデータは、学会等の学術会議で公表された発表内容に基づくものです。

本日の内容

- I 経営計画2021から現在 – 患者さんに「価値」を届ける
- II R&D組織とケイパビリティの変革により 患者さんへの「価値」提供を加速
- III 最先端の科学を切り拓く パイプラインの進展
- IV 持続的な「価値」創造の実現に向けて
- V 質疑応答

登壇者



岡村 直樹
代表取締役社長



谷口 忠明
研究開発担当

変化する医療の最先端に立ち
科学の進歩を
患者さんの「価値」に変える

患者にとって真に重要な
アウトカム

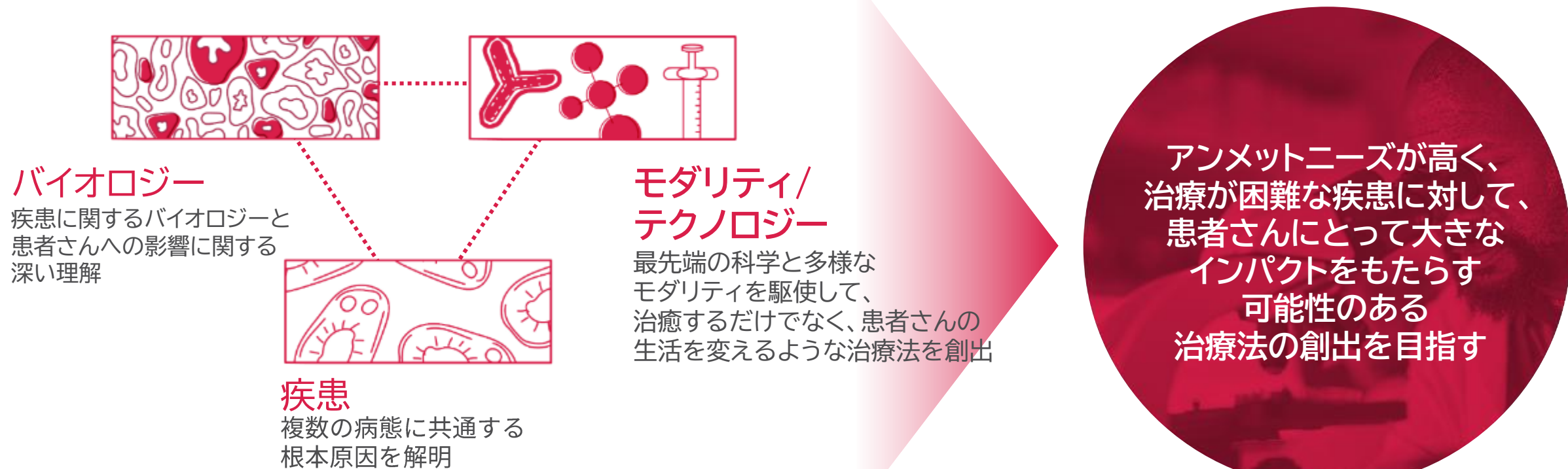
「価値」=

アウトカムを提供するために
ヘルスケアシステムが負担する

コスト



Focus Areaアプローチに基づきイノベーションを創出



4つのPrimary Focusのフラッグシッププログラムに注力

がん免疫

ASP2138 –

治療が極めて困難とされる
胃がん、食道胃接合部がん、膵がんで
ファーストインクラスとなる可能性を持つ
T細胞エンゲージャー

遺伝子治療

AT845 –

重篤な希少神経筋疾患である
ポンペ病の根本原因にアプローチする、
アデノ随伴ウイルスを活用した
遺伝子補充療法

再生と視力の維持・回復

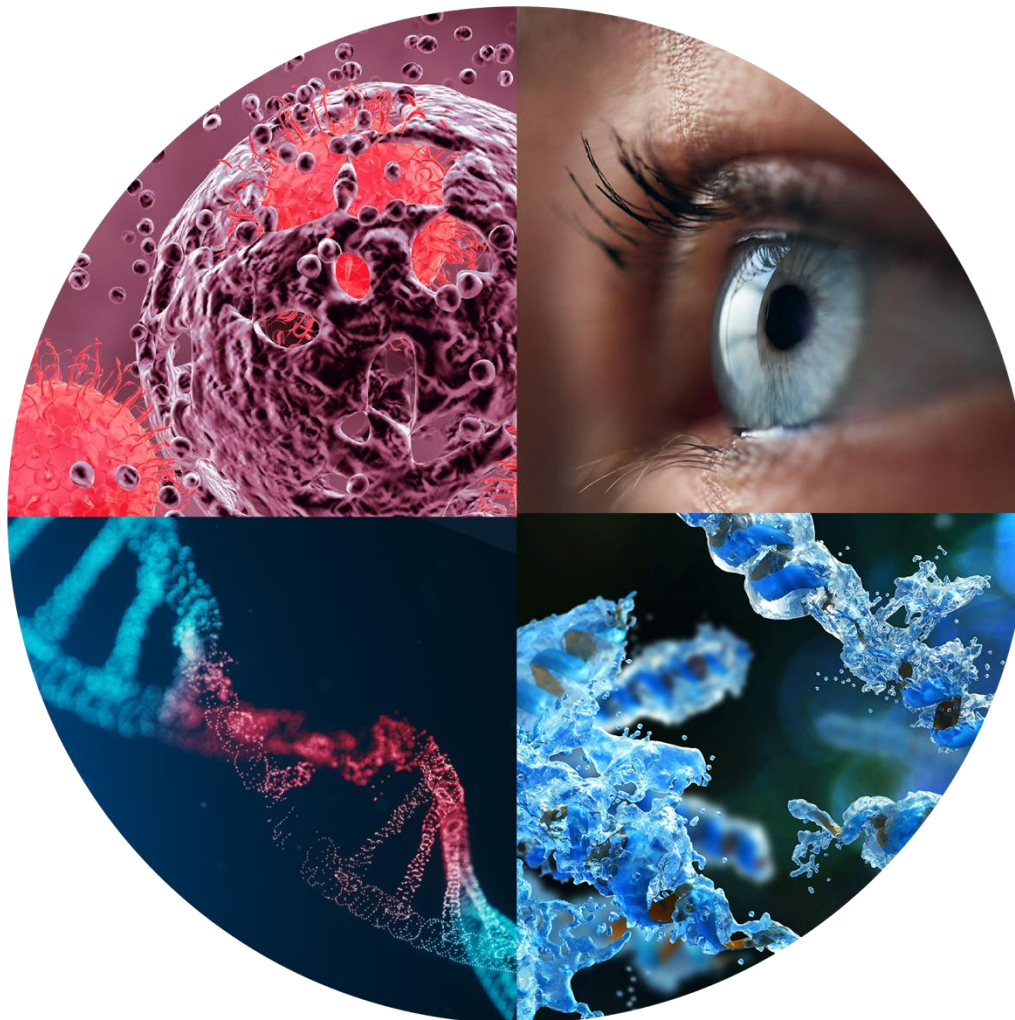
ASP7317 –

失明の主要原因疾患に対し、
多能性幹細胞由来として**世界で早期に**
臨床入りを果たした、眼科疾患を対象
とした**細胞医療の一つ**

標的タンパク質分解誘導

setidegrasib(ASP3082) –

膵がんや肺がんを含む
KRAS G12D変異固形がんを標的とする、
ファーストインクラスとなる可能性を持つ
標的タンパク質分解誘導剤



規律を持った選択と集中により患者さんに「価値」を届ける

経営計画2021のもと、実行規律の強化と持続的な生産性向上を実現し、より高質なサイエンスの加速に注力

パイプラインの加速

- 12の新規有効成分で第I相試験における最初の被験者への投与を達成
- 1つの新規有効成分で第III相試験開始
- 4つのPoCを達成* – アセットおよびプラットフォームの妥当性を証明
- 標的タンパク質分解誘導を新たにPrimary Focusに認定

より厳格なポートフォリオ規律を機動的に推進

- より価値の高いプログラムへのシフト
- 臨床段階にある21プログラムを中止

持続的な生産性向上の基盤を構築

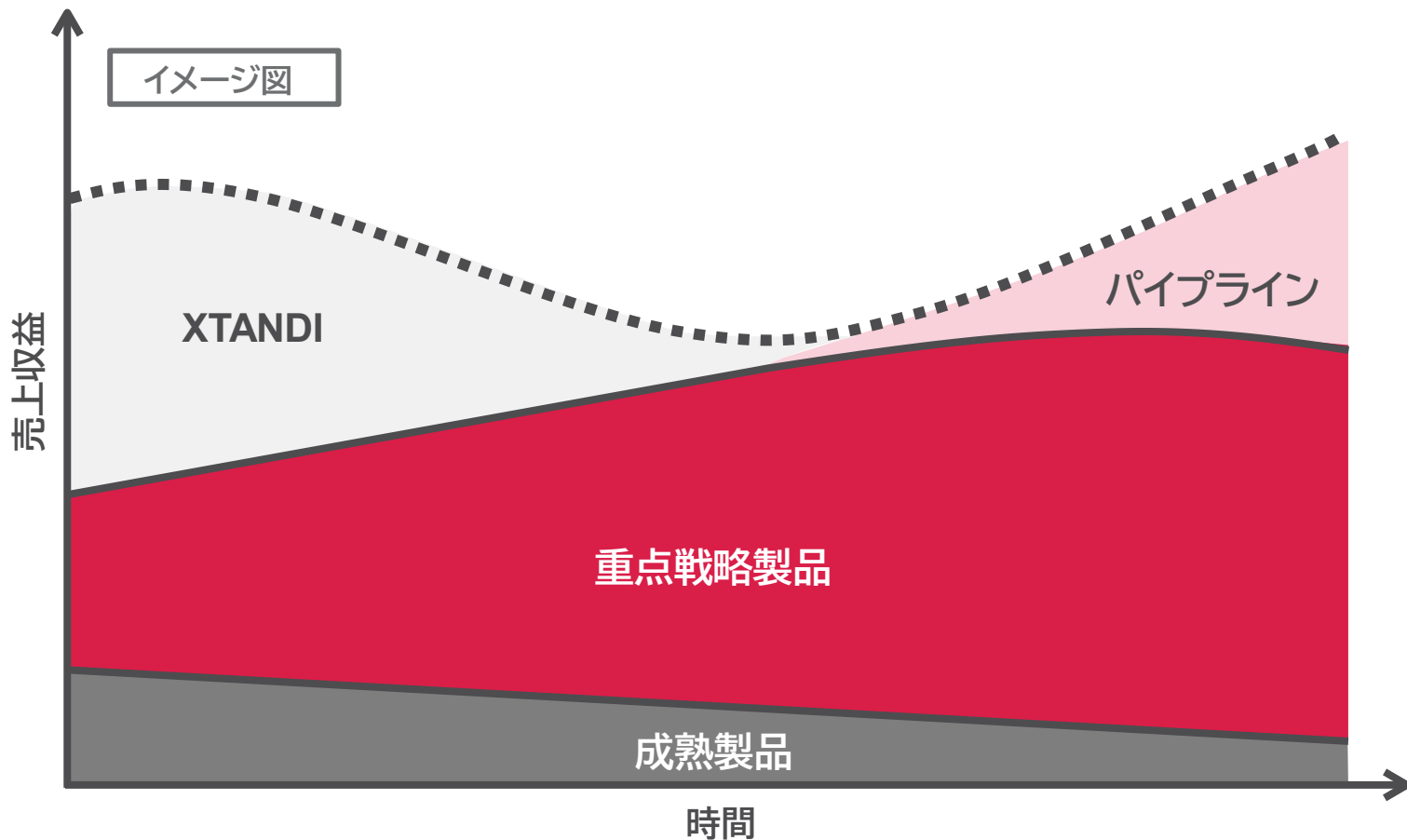
- R&D組織を変革 – 一貫通貫の組織体制 (VALUE Creation)
- スケールを拡大し、スピードを加速させるためのケイパビリティに投資
- 生産性を向上させ、一貫した成果を得るための新しい働き方への移行



*3アセット (setidegrasib、ASP2138、ASP7317) から4つのPoC
PoC: コンセプト検証

現在のモメンタムを土台として長期的な成長軌道に転換

徹底した集中と管理により、XTANDI独占販売期間満了後の変革期を乗り越えて成長に転ずる



売上収益の最大化
山を高く、谷を平らに

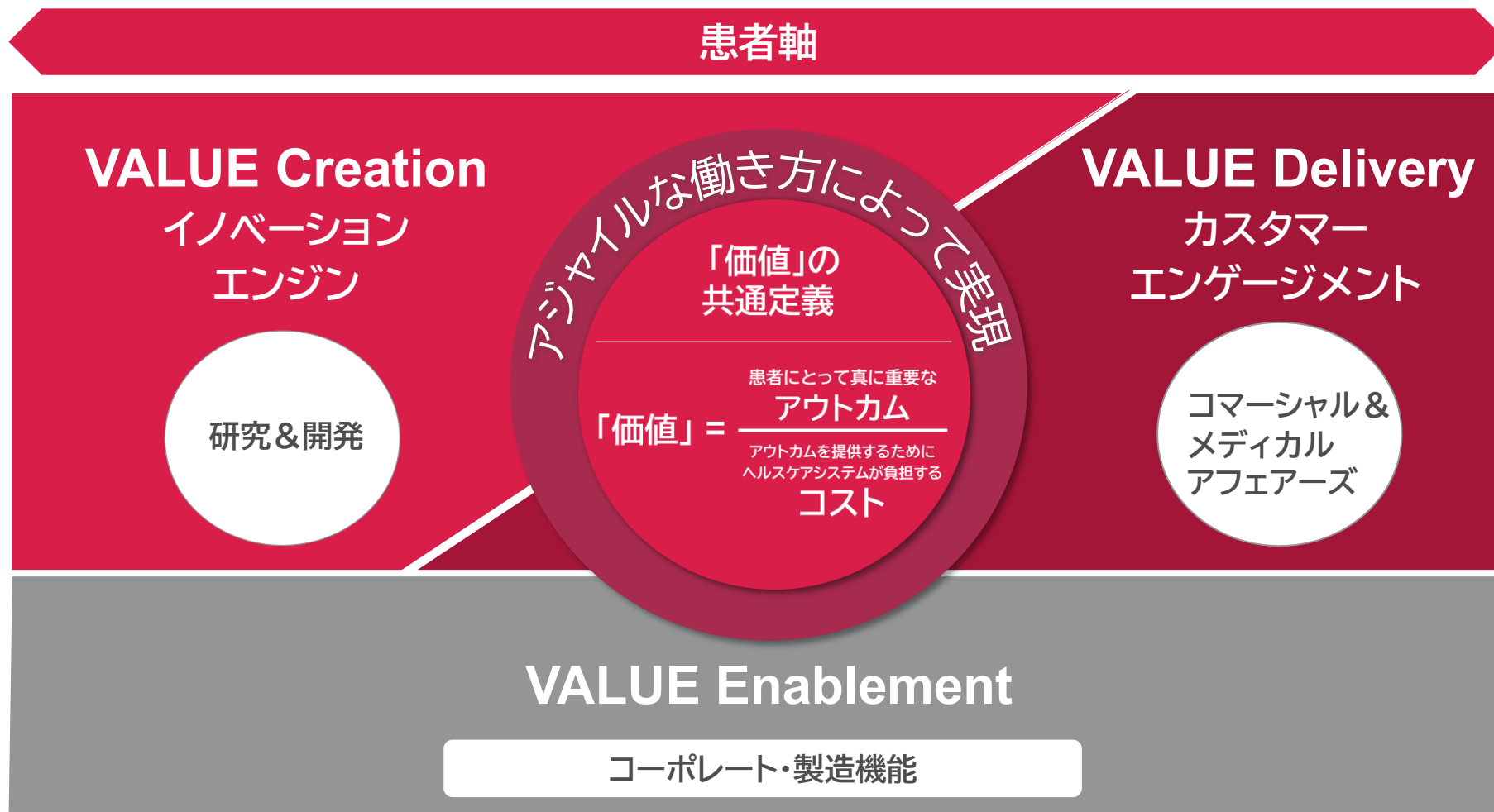
パイプラインの加速
2030年代の売上に貢献

オペレーション効率の向上
収益性を高め、重点戦略製品や
パイプラインに投資

重点戦略製品: PADCEV、IZERVAY、VYLOY、VEOZAH、XOSPATA

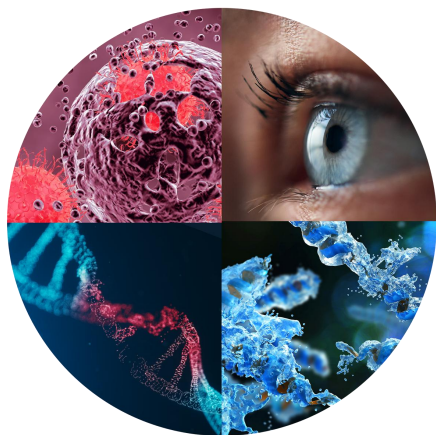
「患者軸」に沿った一気通貫での活動

患者さんの「価値」を中心に据えて、創薬から開発、提供に至るまで、一体となって活動

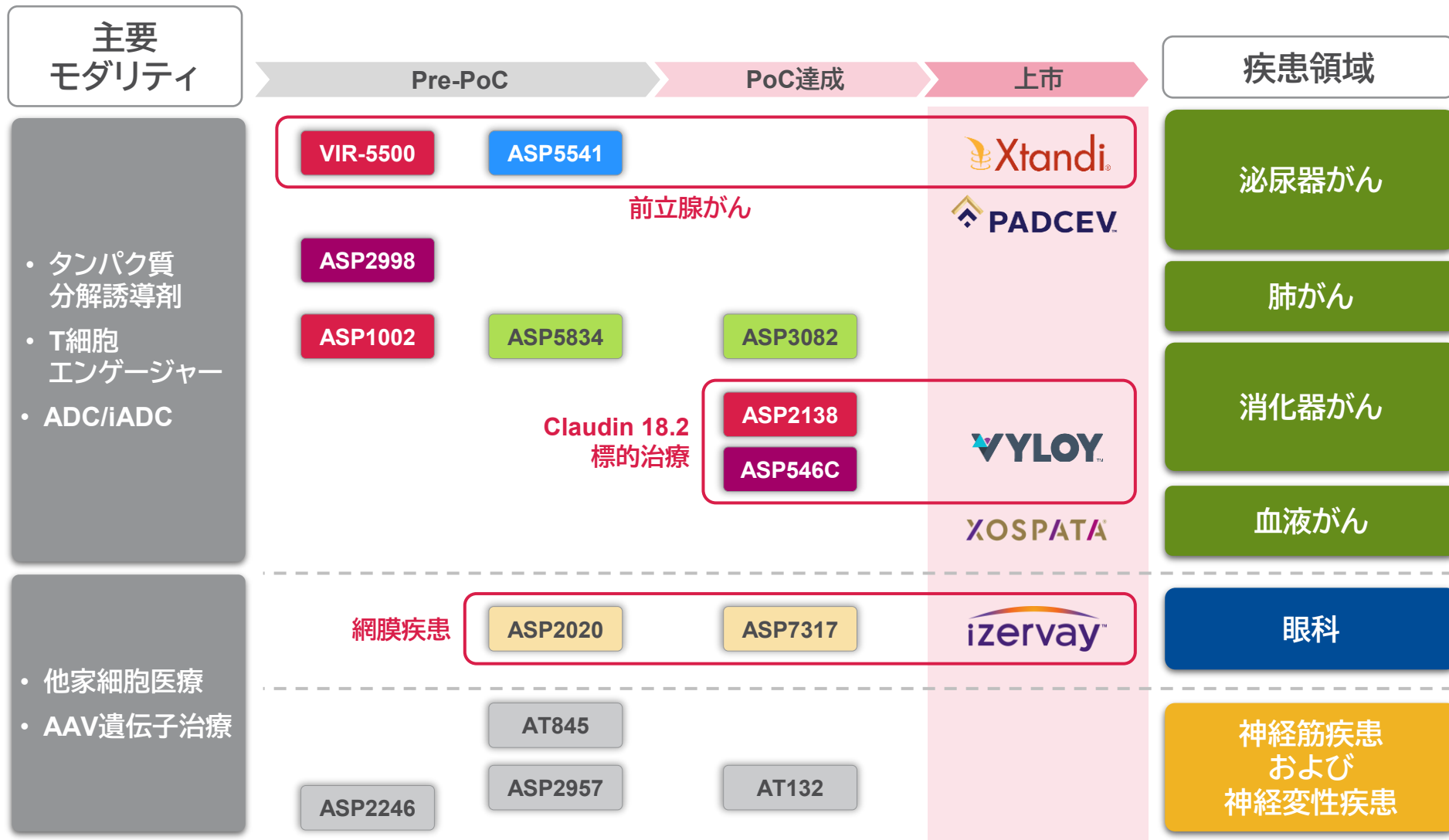


Focus Areaアプローチを通じて臨床初期段階での進展を実現

Primary Focus



バイオテックやアカデミアとの提携



PoC: コンセプト検証、(i)ADC: (免疫刺激性)抗体-薬物複合体、AAV: アデノ随伴ウイルス、mRNA: メッセンジャーRNA

深刻な病気を抱える患者さんにとって、
科学は患者さんの生活を大きく変える
可能性を秘めている

がん領域の中でも治療選択肢が限られる疾患に挑み、
慢性疾患による制約から人々を解放し、
臓器移植後の人生を、あらためて描き直す——

科学のブレークスルーは、いまこの瞬間も、
確実に人々の人生を変え続けている

それでもなお ——
多くの患者さんが、待ち続けている



グローバルで 確かな「価値」を創出

これまで、がん、眼科・泌尿器科、ウィメンズヘルス、免疫などの領域における私たちの革新的な治療薬は、**何百万人もの人生に確かな変化**をもたらしてきた

治療機会を**疾患の早期かつ幅広いステージへと拡大**することで、より多くの患者さんに意義のある治療法を届ける

アステラス製品
による治療を
受けた患者数

1億7,400万人

100カ国
以上

アンメットニーズが高い複数の疾患領域で、 科学のイノベーションを患者さんの「価値」へ



膀胱がんにおいて、
化学療法と比べて生存
期間を約**2倍**に延長¹



前立腺がんにおいて、
ホルモン療法併用により、
病勢進行を**60%以上**抑制²



胃がんにおいて、
化学療法併用により
標準療法単独と比べて
生存期間を約**3カ月**延長³



萎縮型加齢黄斑変性
に伴う地図状萎縮の
進行を偽処置に
対して抑制⁴



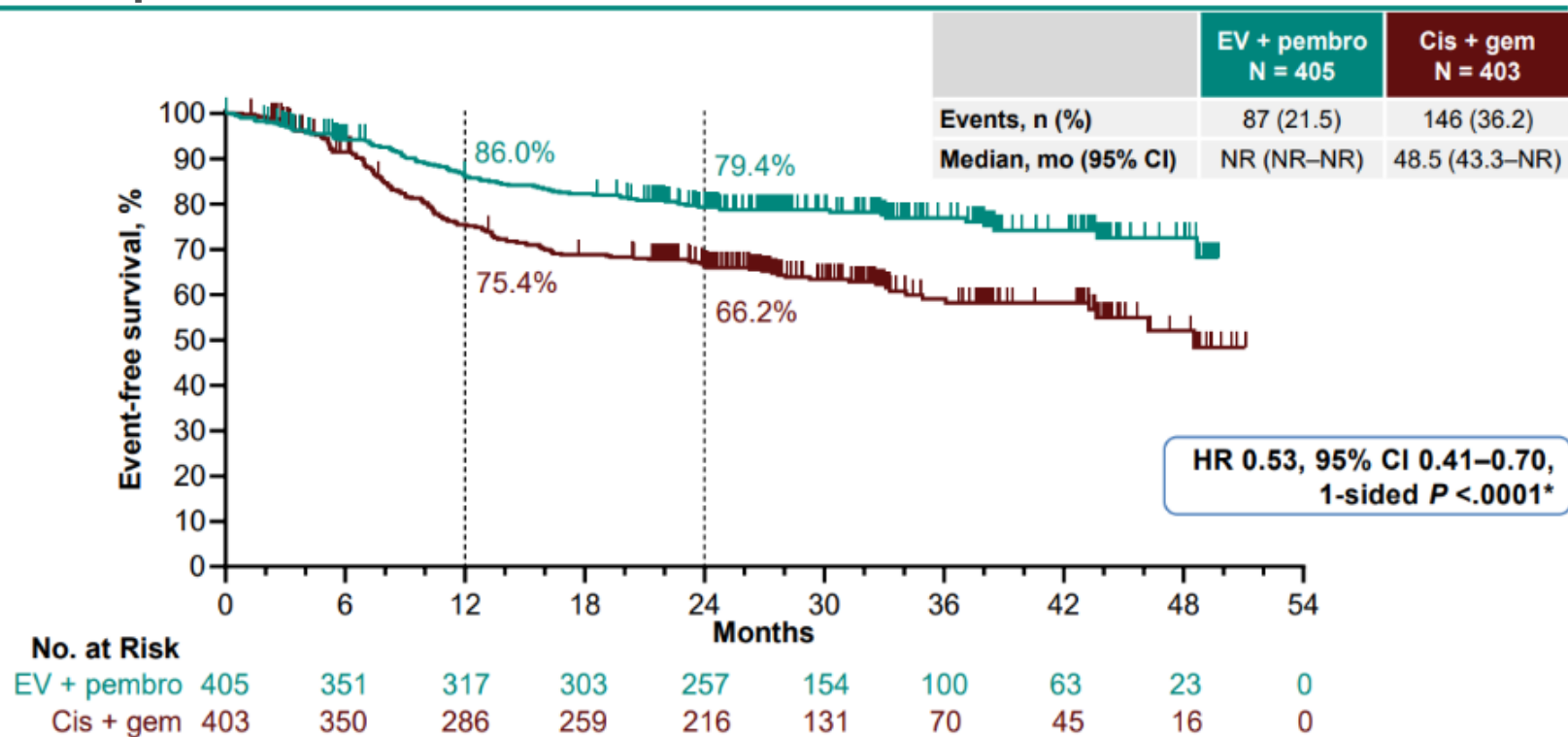
VMS治療における
ファーストインクラスの
非ホルモン療法

1. EV-302試験(治療歴のない局所進行性または転移性尿路上皮がん、ペムプロリズマブ併用); N Engl J Med 2024;390:875-888、2. EMBARK試験(生化学的再発のリスクが高い非転移性去勢感受性前立腺がん); N Engl J Med 2026;394:563-575(日本では未承認)、3. SPOTLIGHT試験(Claudin 18.2陽性、HER2陰性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の一次治療); Lancet 2023;401:1655-1668、4. GATHER2試験; Ophthalmology 2026;133:451-465
VMS: 血管運動神経症状

PADCEVが切り拓く、新たな筋層浸潤性膀胱がん治療

EV-304: 周術期のエンホルツマブ ベドチン+ペムブロリズマブ併用療法は、術前化学療法と比べ、無イベント生存期間(EFS)および全生存期間(OS)を有意に改善し、病理学的完全奏効(pCR)率を向上

Primary Endpoint: EFS by BICR ITT Population



NR, not reached. * denotes statistical significance (one-sided boundary 0.0082).

Data cutoff date: 27 October 2025

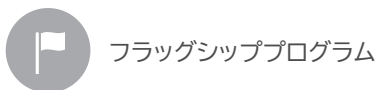
データはASCO GU 2026で発表

ASCO GU: 米国臨床腫瘍学会 泌尿生殖器がんシンポジウム、BICR: 盲検独立中央判定、cis: シスプラチン、EV: エンホルツマブ ベドチン、gem: ゲムシタビン、HR: ハザード比、ITT: 治療企図解析、pembro: ペムブロリズマブ

重点戦略製品とのシナジーでパイプラインの進展を加速

2026年3月時点

前立腺がん 開発段階 XTANDI(エンザルタミド) 上市 ASP5541/PRL-02 2 VIR-5500 1	上部消化管がん・膵がん 開発段階 VYLOY(ゾルバツキシマブ) 上市 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん ゾルバツキシマブ 3 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん ASP2138 1 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん、膵腺がん ASP546C 1 setidegrasib(ASP3082) 1 膵腺がん	急性骨髄性白血病 開発段階 XOSPATA(ギルテリチニブ) 上市 急性骨髄性白血病 ギルテリチニブ 3 小児における急性骨髄性白血病 ギルテリチニブ 2 急性骨髄性白血病(未治療、強力な化学療法不適応)	固形がん 開発段階 setidegrasib(ASP3082) 1 非小細胞肺癌 ASP5834 1 ギルテリチニブ 1 ALK陽性非小細胞肺癌 ASP1002 1 ASP2998 1
膀胱がん・尿路上皮がん 開発段階 PADCEV(エンホルツマブ ベドチン) 上市 mUC、シスプラチン不適応MIBC エンホルツマブ ベドチン 3 シスプラチン適応MIBC	神経筋疾患および神経変性疾患 開発段階 AT132 2 X連鎖性ミオチューブラーミオパチー ASP2957 IND承認 X連鎖性ミオチューブラーミオパチー	神経筋疾患および神経変性疾患 開発段階 AT845 2 ポンパ病 ASP2246 治験計画承認(日本) 虚血性脳卒中に伴う運動機能障害	血管運動神経症状 開発段階 VEOZAH(フェゾリネタント) 上市 閉経に伴う血管運動神経症状 フェゾリネタント 3 閉経に伴う血管運動神経症状:中国/日本、乳がん患者における血管運動神経症状



*本リストはすべてのパイプラインを網羅するものではない
 ALK:未分化リンパ腫キナーゼ、IND:治験許可申請、MIBC:筋層浸潤性膀胱がん、mUC:転移性尿路上皮がん

長期的な成長を支える、競争力のあるポートフォリオ構築への道筋

2030-2034



優位性を確立

- R&D生産性は業界上位水準へ
- 高付加価値・低リスクのパイプライン進展を継続的に実現

2027-2029



パイプラインの拡充

- パイプラインの質と一貫性の向上
- 優先順位付けを強化

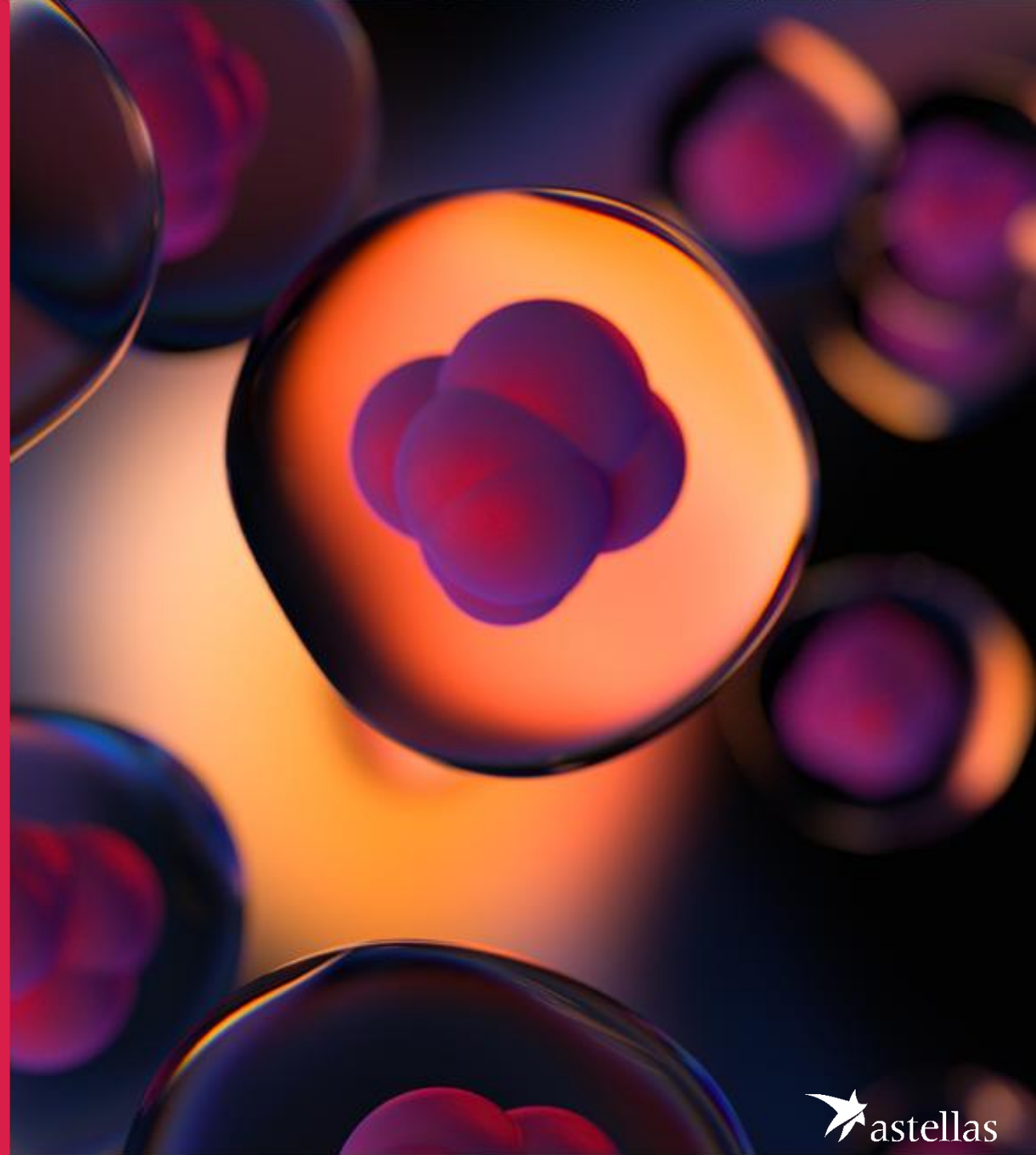
2024-2026



基盤を強化

- R&D組織を変革
- 生産性とガバナンスの強化

R&D組織とケイパビリティの
変革により患者さんへの
「価値」提供を加速



生産性・効率性の向上に向けて抜本的な施策を講じ、明確な成果を実現



社内外の協働を促進



パイプラインの
加速と価値最大化



人材への投資

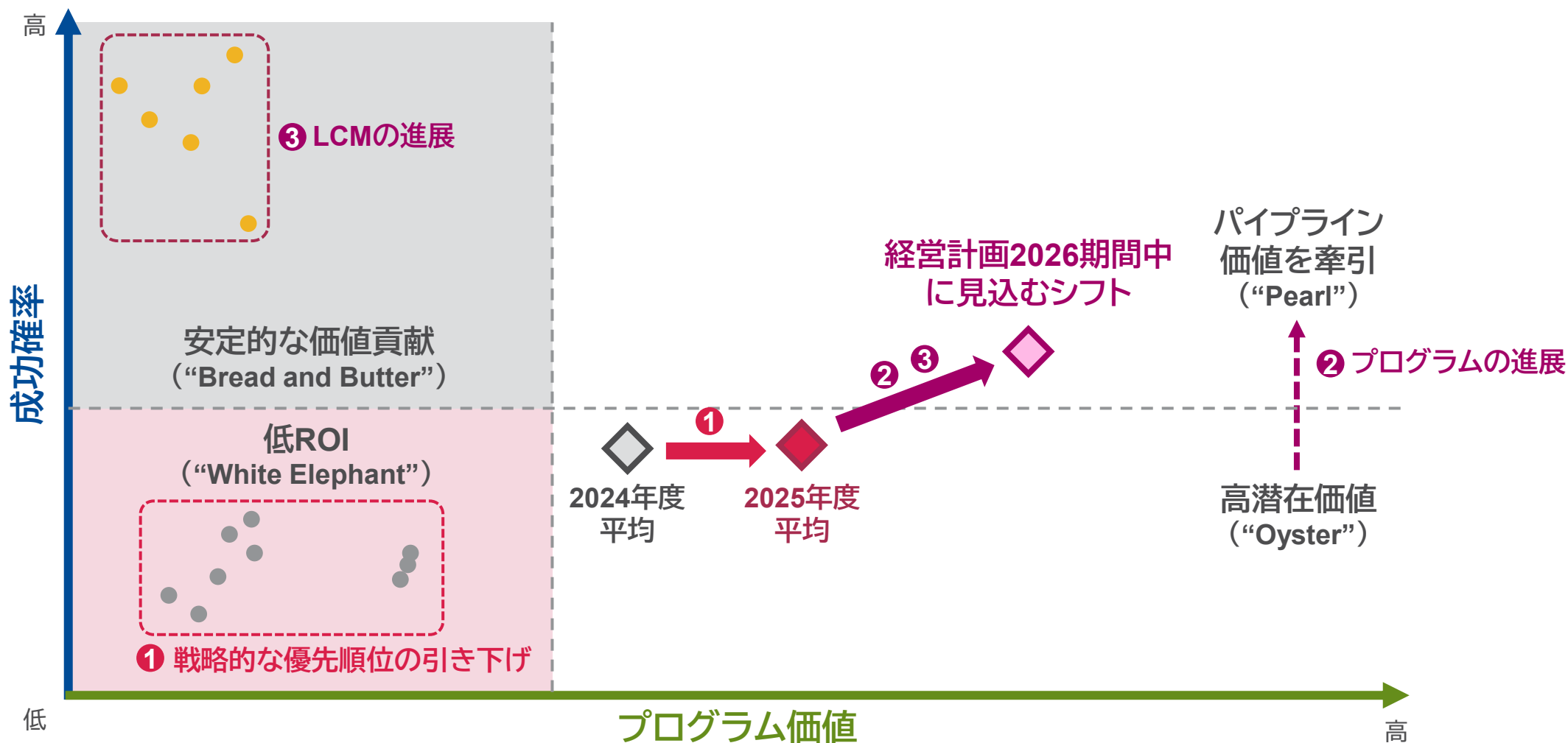


臨床試験の
実行力を強化



データに基づく
意思決定文化の醸成

規律あるポートフォリオの優先順位付けによりパイプライン価値を最大化



LCMおよび前臨床段階のプログラムを含む
 参照: PDMA Visions Magazine 4, 2013;37;4
 LCM: ライフサイクルマネジメント、ROI: 投資対効果

● 重点戦略製品のLCM ● 2024年度に優先順位を引き下げたプログラム

臨床オペレーションの内製化によって臨床試験の実行力を大幅に強化し、革新的な医薬品の提供を加速



臨床試験

- IND受理から最初の治験実施施設の稼働までの期間を**69%短縮***
- IND受理から最初の被験者への投与までの期間を**67%短縮***



申請

- トップライン結果の入手から申請までの期間の中央値：**115日**(FY25) (業界ベンチマーク:147日)**
- 申請までのタイムラインを**14%短縮**(FY25 vs. FY23)



承認

- 主要地域(米国、EU、日本)において**8件の承認取得**(FY24/25)



グローバルでKOLとの関係性を強化



患者視点に立った開発



自社R&Dケイパビリティの強化

*FY24/FY25 vs. FY23

**KMR benchmark <https://kmrgroup.com/>

IND:IND:治験許可申請、KOL:Key opinion leader

AIへの戦略的な投資によりR&D全体のスピード・質・意思決定を向上

研究

AI活用型プロテインステーション:
バイオ医薬品創製のスピードと生産性を向上

AI駆動型遺伝子治療:
標的組織への高精度ターゲティング、
毒性の低減、治療精度の向上

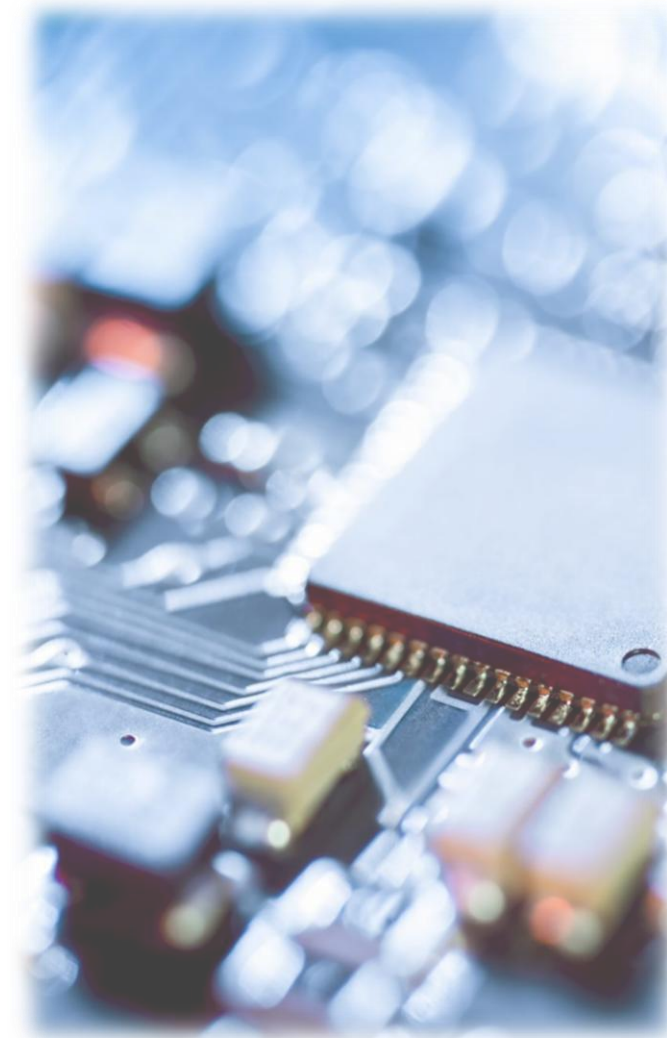
Human-in-the-Loop型プラットフォーム:
医薬品候補化合物最適化のためのAI・
ロボティクス統合システム

**NVIDIAの技術を活用したスーパー
コンピューティング:**
初期段階の創薬を飛躍的に加速

開発・製造

**EvinovaのAIネイティブ型Study
Designerプラットフォーム:**より高度で
患者中心の臨床試験デザインを実現

**Mahol-A-Baロボティクス
プラットフォーム:**複雑な細胞医療
製品の製造プロセスの自動化



研究Center of Excellenceによるイノベーション創出と 初期パイプラインの拡充



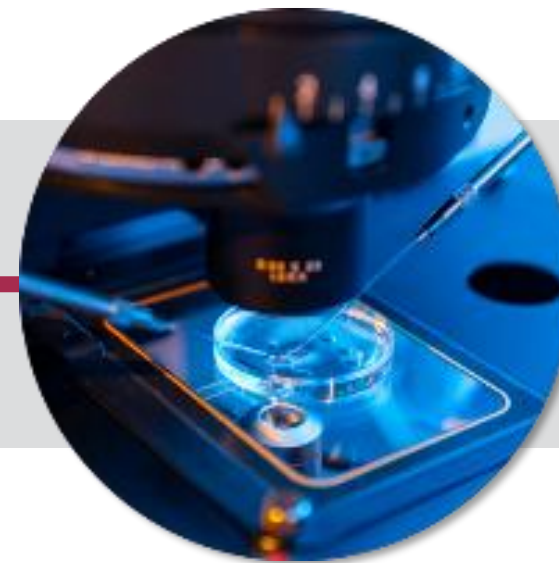
ONCOLOGY RESEARCH

標的タンパク質分解誘導や免疫活性化
アプローチを含む最先端モダリティを
活用して初期段階のがん治療法を創出



CELL AND GENE THERAPY RESEARCH

多様で複雑な疾患に対し、AAVを用いた
遺伝子治療や多能性幹細胞を用いた他家
細胞医療による次世代の治療法を開発



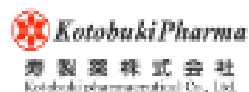
INNOVATION LABS

オープンイノベーションや社外の研究開発
を通じ、強固なバイオロジーに基づく外部
イノベーションを取り込み、がん・細胞医療・
遺伝子治療を超えてパイプラインを拡大

AAV: アデノ随伴ウイルス

強固なパートナーシップを通じてイノベーション創出を強化・加速

バイオテック企業



アカデミア



オープンイノベーション



イノベーションを取り入れて、信頼性の高い製造・供給を開発段階から実現

レジリエントなグローバルネットワーク



- 日本、米国、アイルランド、中国の各地に製造拠点と技術センターを保有

モダリティ横断的な先進技術



- 低分子・バイオ医薬品
- 細胞医療製品
- 核酸医薬
- 抗体-薬物複合体

大規模生産能力

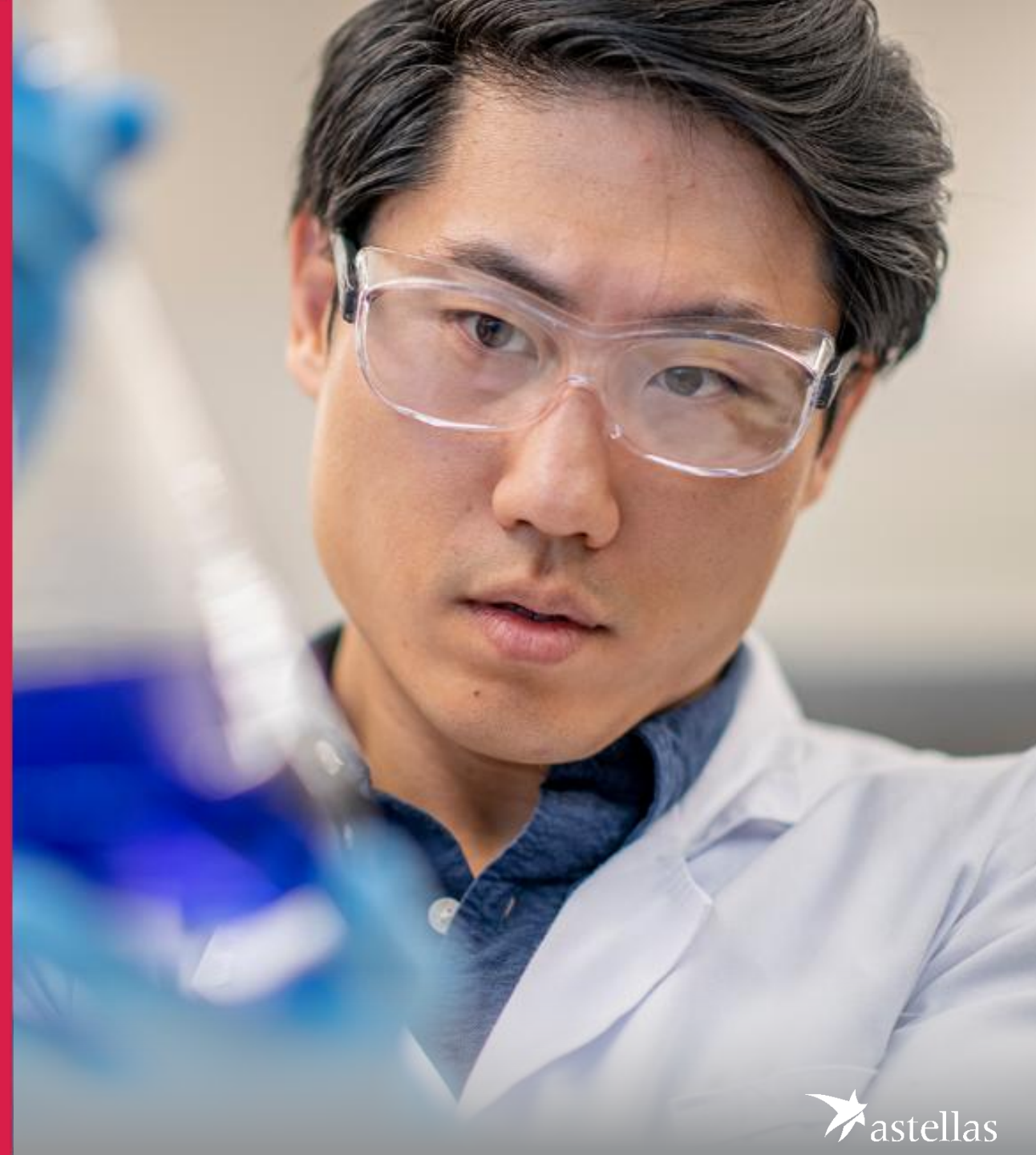


- cGMP対応の製造基盤と規制対応の専門性を併せ持ち、開発のあらゆる段階において高品質で信頼性に優れた供給を実現



cGMP: Current Good Manufacturing Practice

最先端の科学を切り拓く
パイプラインの進展



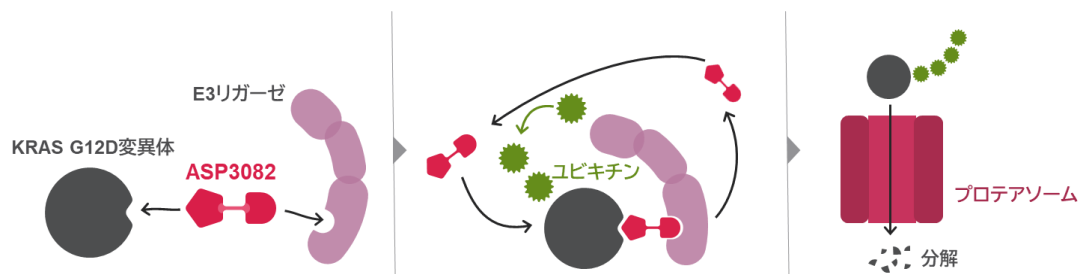
Primary Focus 標的タンパク質分解誘導： 治療の常識を塗り替え、医療の未来を切り拓く

「アンドラッグブル」とされてきたタンパク質を標的とし、これまでの治療を変革
がん領域から始め、より良い治療選択肢が求められる疾患領域へと展開

フラッグシッププログラム

setidegrasib (ASP3082): がん領域においてアプローチが困難とされていた **KRAS G12D** 変異固形がんを対象とした標的タンパク質分解誘導剤で、ファーストインクラスが期待される

- ✓ KRAS G12D 変異患者の割合：
膵臓がんの約40%、非小細胞肺癌の約5%¹



後続プログラム

ASP5834: 多様なKRAS変異*を標的とするpan-KRAS分解誘導剤
*KRAS G12V/G12D/G12C/G12R/G12A/G13D変異、KRAS遺伝子増幅

- ✓ 全がん患者の11.6%にKRAS変異が認められる^{2,3}

現況

- ✓ 2025年8月に第I相試験の最初の被験者への投与を達成 (IND受理後27日)

1. npj Precis Oncol. 2022;6:91. 2. American Cancer Society. Cancer Facts & Figures (2020). 3. Hofmann, M.H. et al. Cancer Discovery 12(4):924-937 (2022)
IND: 治験許可申請

setidegrasib (ASP3082): PoC達成、申請用試験実施に向けて進展

膵腺がん

- PoC達成
- ASCO GI 2026でデータ発表
- 一次治療での第Ⅲ相試験の組み入れが開始 (NCT07409272)
- 2029年度にデータ判明見込み

非小細胞肺がん

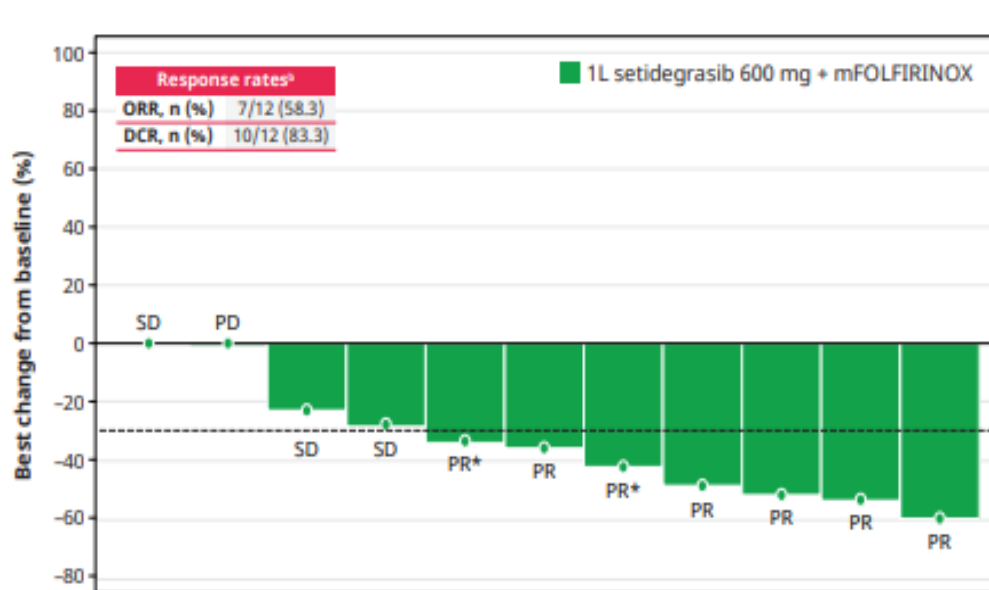
- PoC達成
- AACR-NCI-EORTC 2025およびELCC 2026でデータ発表、NEJMにも同時掲載¹
- 二次治療以降での第Ⅲ相試験準備中
- 2028年度にデータ判明見込み
- 一次治療での評価を実施中

- 大腸がん: 二次治療以降(単剤およびセツキシキマブ併用)での開発は実施しない方針
- その他のKRAS G12D変異陽性のがんにおける開発を見据えた評価を実施中

1. N Engl J Med 2026 Mar; doi: 10.1056/NEJMoa2600752

PoC: コンセプト検証、ASCO GI: 米国臨床腫瘍学会消化器がんシンポジウム、AACR: 米国癌学会、NCI: 米国国立がん研究所、EORTC: 欧州がん研究機関、ELCC: 欧州肺癌学会、NEJM: The New England Journal of Medicine

setidegrasib (ASP3082): 膵腺がんに対する併用療法の抗腫瘍効果

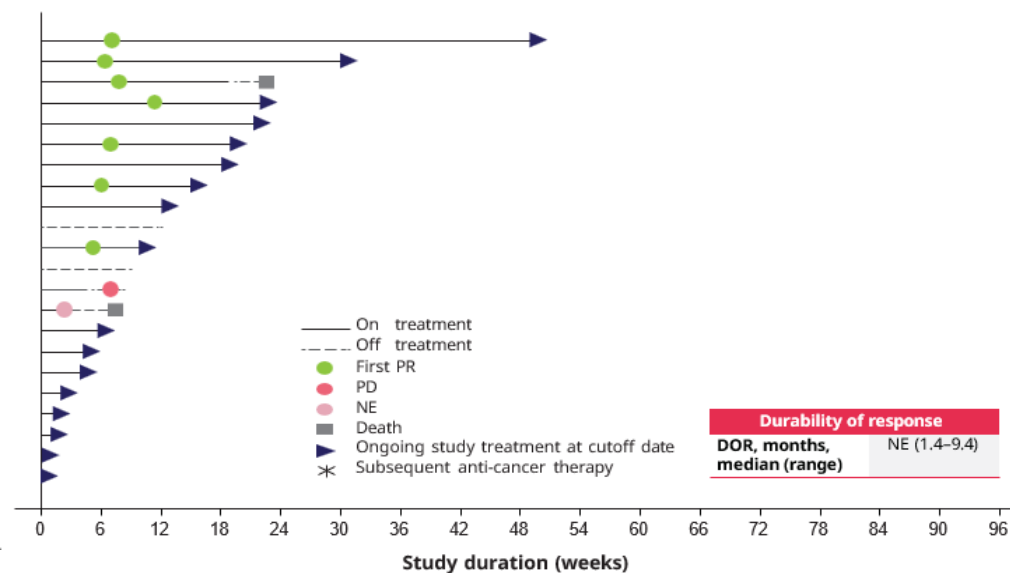


Dashed lines at -30% represent PR, per RECIST version 1.1. Asterisks represent unconfirmed PR per RECIST version 1.1 in patients with ongoing treatment.

ORR/DCR analysis included all patients who received at least 1 dose of setidegrasib. Three patients were excluded from the waterfall plot of best change from baseline (withdrawal by patient, n = 1; withdrawal due to AE, n = 1; PD, n = 1); Ten patients who received at least 1 dose of setidegrasib were excluded from the ORR/DCR analysis (lack of postbaseline tumor assessment before withdrawal, n = 2; lack of postbaseline tumor assessment at data cutoff due to insufficient follow up time, n = 8). One additional patient was excluded from the waterfall plot of best change from baseline (lack of evaluable postbaseline tumor assessment).

- インフュージョンリアクションは22例中16例で報告された(72.7%)
- 多くは初回投与時に発現し、低グレードの発疹又は蕁麻疹であった。抗ヒスタミン剤の前投与や投与の一時中断、投与速度の低下により適切に管理可能であった
- インフュージョンリアクションにより治療中止に至った症例はなかった

1L setidegrasib 600 mg + mFOLFIRINOX

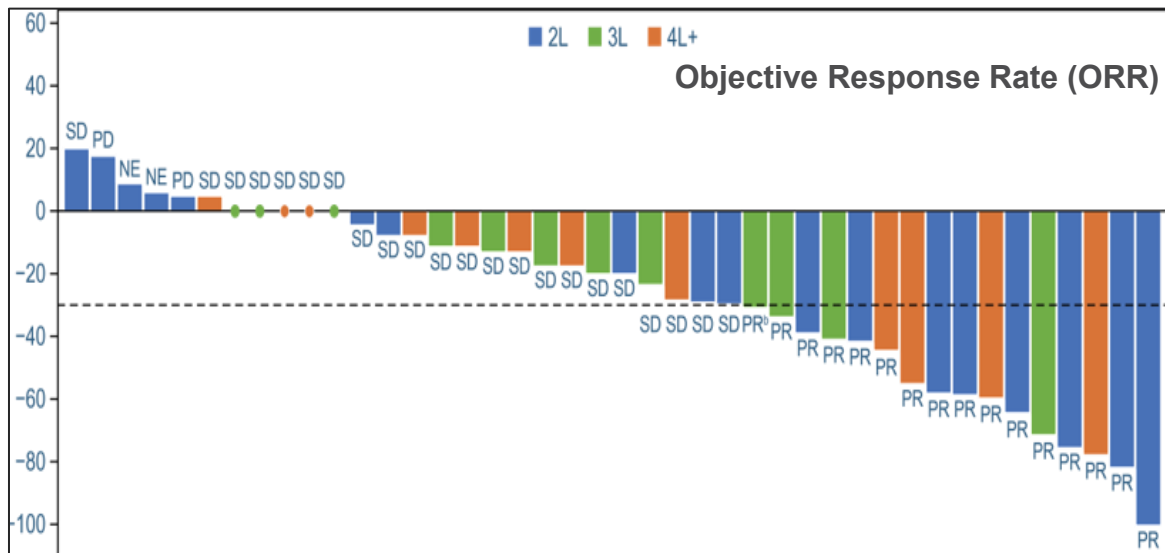


Durability of response
DOR, months, median (range) NE (1.4-9.4)

KRAS G12D変異陽性転移性膵腺がん患者の一次治療を対象にsetidegrasib + mFOLFIRINOX/NALIRIFOX併用療法を評価する第Ⅲ相試験の組み入れを開始(NCT07409272)

ASCO GI 2026で発表、1L:一次治療、ORR:客観的奏効率、DCR:病勢コントロール率、DOR:奏効期間、AE:有害事象、SD:安定、PD:進行、PR:部分奏功、NE:評価不能、mFOLFIRINOX:ロイコボリン+フルオロウラシル+イリノテカン+オキサリプラチン、NALIRIFOX:ナリリボソーム型イリノテカン+オキサリプラチン+ロイコボリン+フルオロウラシル

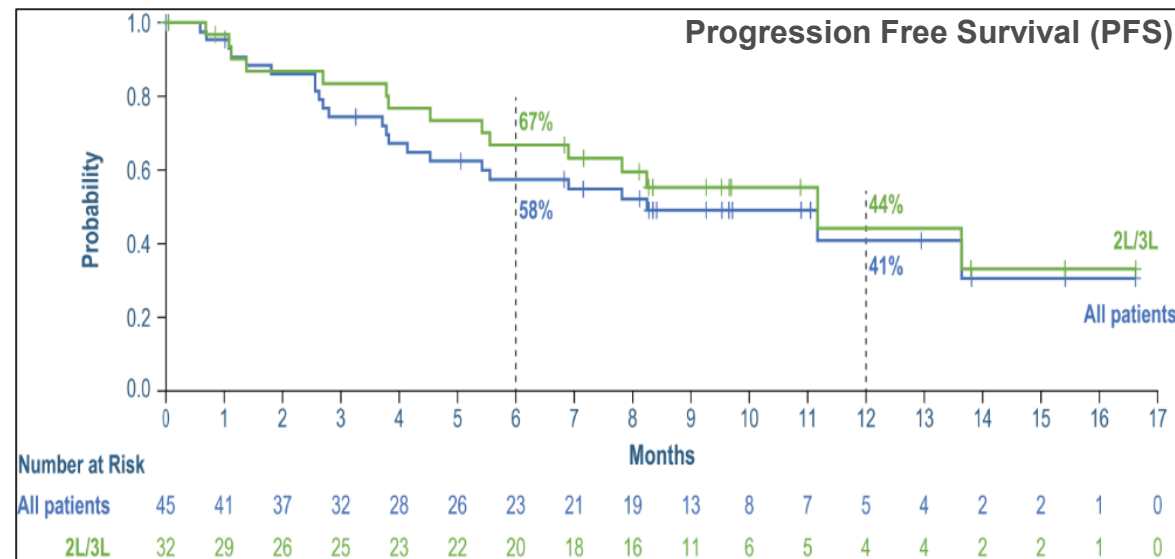
setidegrasib (ASP3082) 単剤療法は、KRAS G12D変異陽性の進行性または転移性非小細胞肺がん患者において持続的な臨床的有用性を示し、新たな安全性シグナルは認められなかった



ORR was 37.5% in the 2L/3L setting

Data cutoff date: November 10, 2025.

Dashed line represents 30% reduction in tumor size. ORR defined as patients with best overall response of CR/PR with confirmation, or without confirmation but with possibility of confirmation at subsequent assessment; One patient had an unconfirmed PR per RECIST v1.1.



Median PFS was 11.2 months in the 2L/3L setting

Data cutoff date: November 10, 2025.

Median follow-up time, months (95% CI): All patients, 9.7 (9.1–12.4); 2L/3L, 9.7 (8.7–13.3).
 For all patients, PFS rate (95% CI) was 58% (41–71) at 6 months and 41% (22–59) at 12 months.
 For 2L/3L patients, PFS rate (95% CI) was 67% (47–81) at 6 months and 44% (20–66) at 12 months.

KRAS G12D変異陽性の進行性または転移性非小細胞肺がん患者を対象とした setidegrasib 単剤療法を評価する第Ⅲ相試験を2026年度に開始予定

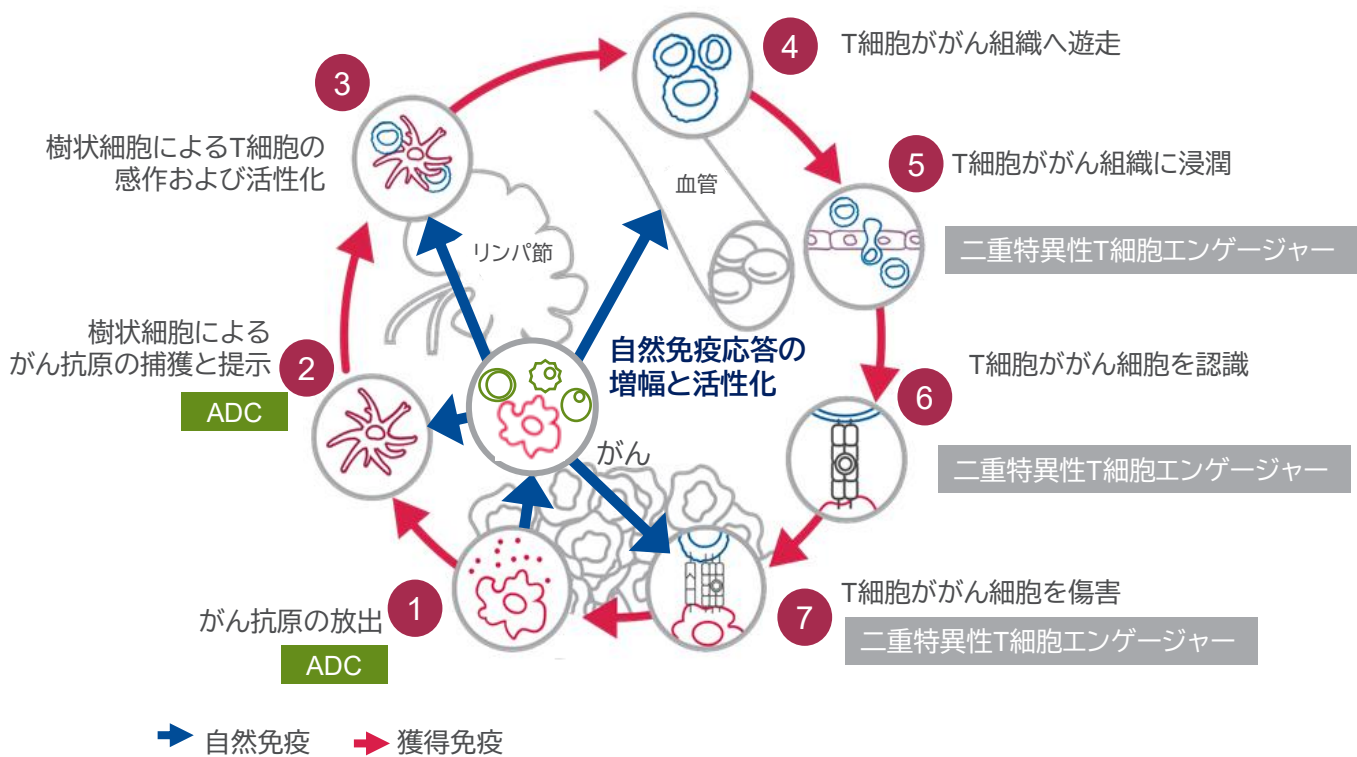
European Lung Cancer Conference 2026で発表; N Engl J Med 2026 Mar; doi: 10.1056/NEJMoa2600752

2L/3L: 二次/三次治療、4L+: 四次治療以降、ORR: 客観的奏効率、PFS: 無増悪生存期間、SD: 安定、PD: 進行、PR: 部分奏功、NE: 評価不能

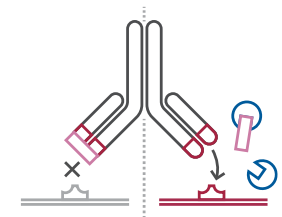
Primary Focusがん免疫：免疫システムを活用し、持続的な治療応答を実現することでがん患者の生存期間延長を目指す

がん免疫サイクルの複数ステップに作用する治療法の開発に取り組む

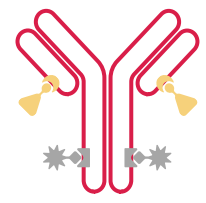
同時に複数の免疫機能を刺激することにより、がんに対する免疫応答を引き起こすプラットフォームを構築



次世代モダリティプラットフォームを活用し、差別化された治療法の開発を目指す



T細胞エンゲージャー



抗体-薬物複合体(ADC)

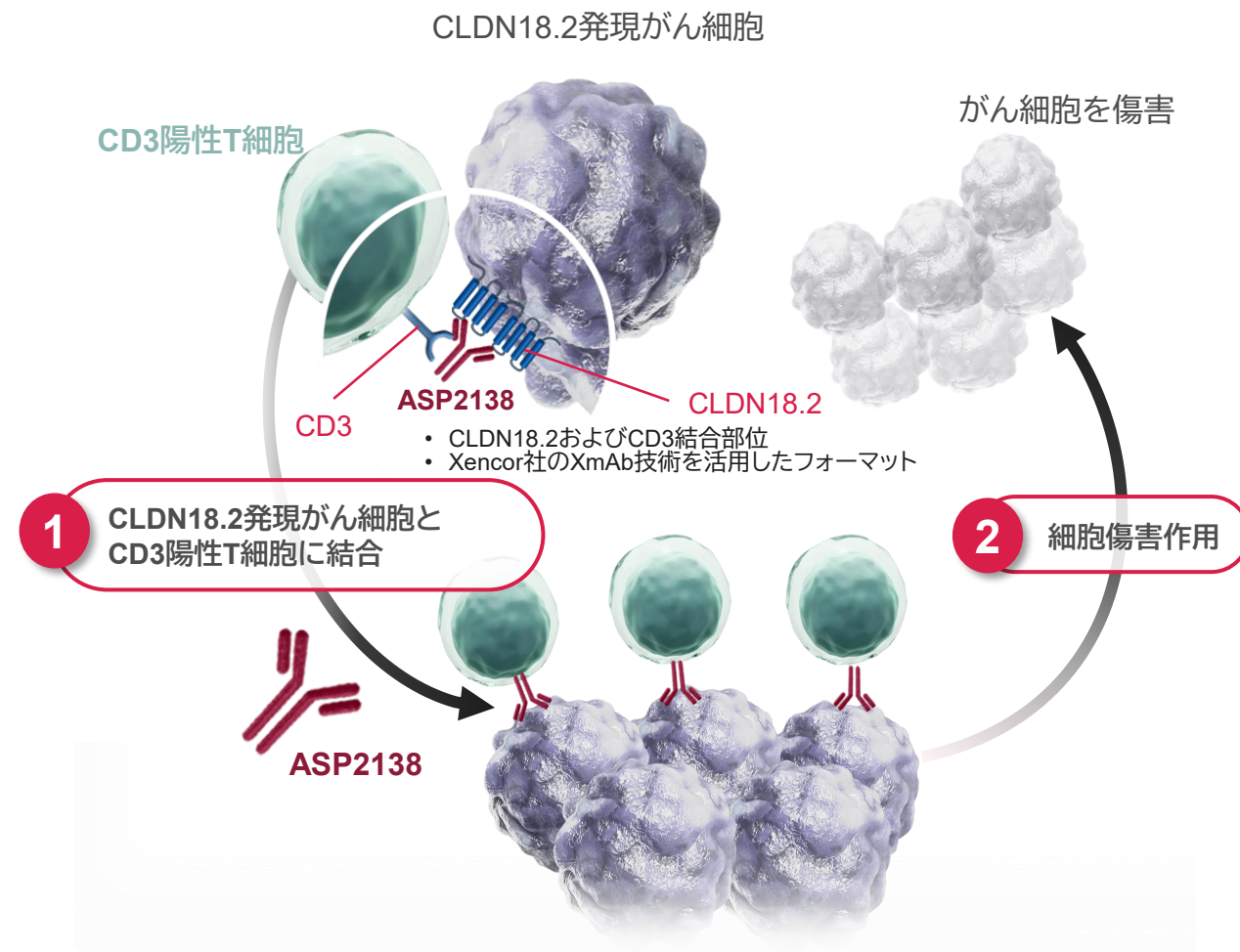


多重特異性抗体

ASP2138: VYLOYで培った専門性を基盤として開発したフラッグシッププログラム

ASP2138はCLDN18.2発現がん細胞とCD3陽性T細胞に結合することで、T細胞を活性化し、がん細胞を傷害するように設計された二重特異性抗体

- 対象疾患: 胃および食道胃接合部腺がん、膵臓がん、その他CLDN18.2陽性のがん
 - ✓ CLDN18.2陽性患者の割合:
胃および食道胃接合部腺がんの約70%¹、膵臓がんの約60%²
- 胃および食道胃接合部腺がんではPoC達成
 - ✓ CLDN18.2発現割合やCPSスコアに関わらず有用性を確認
- 一次治療における第Ⅲ相試験準備中
 - ✓ VYLOYが適用とならないCLDN18.2低～中発現患者対象
 - ✓ 2029年度にデータ判明見込み



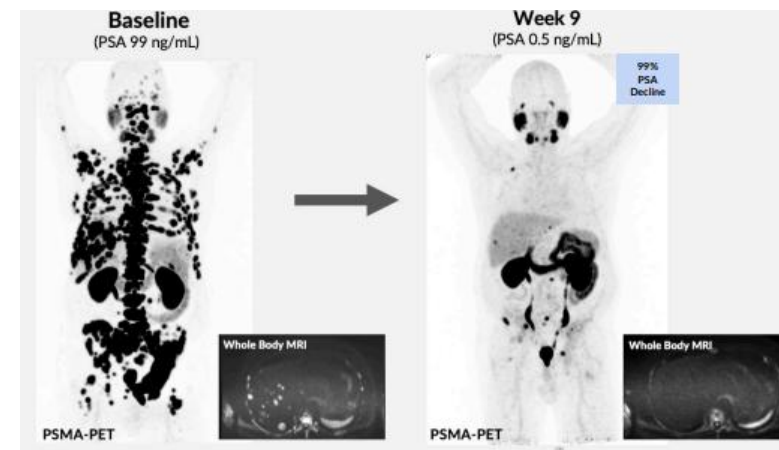
1. Gastric Cancer 2024;27:1058. 2. Int J Cancer. 2013;134:731
CLDN18.2: Claudin 18.2, CPS: PD-L1の複合陽性スコア、PoC: コンセプト検証

T細胞エンゲージャーの前立腺がんへの応用： PSMAを標的とした二重マスキングT細胞エンゲージャーVIR-5500の 開発・商業化に関するVir Biotechnologyとの戦略的提携*

ASCO GU 2026にて初回ヒト投与第 I 相試験(VIR-5500-V101)の データを発表

- 用量依存的な抗腫瘍効果を確認(3,000 µg/kg Q3Wにおいて、PSA90%奏効率 53%(9/17)、PSA50%奏効率 82%(14/17))
- 忍容性は良好であり、安全性プロファイルも良好、DLTは認められなかった：
最大投与量3500 µg/kg Q3Wにおいても、予防的コルチコステロイドや
抗IL-6薬の投与なしで、グレード3以上のTRAE発現は低頻度

99% PSA decline; 63% decrease in tumor diameter
and a complete resolution of liver lesions



Q3W Cohort 800/1500/3000 µg/kg

Case study detail:

- 63-year-old male
- High disease burden: liver and bone lesions
- 5 Prior Lines of Treatment
- Metabolic response of PSMA-avid bone and hepatic lesions



*取引完了前

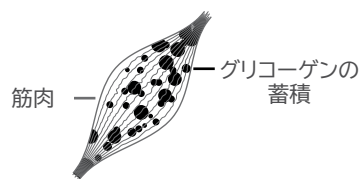
ASCO GU: 米国臨床腫瘍学会 泌尿生殖器がんシンポジウム、DLT: 用量制限毒性、PSA: 前立腺特異抗原、PSMA: 前立腺特異膜抗原、TRAE: 治療関連有害事象

Primary Focus 遺伝子治療: 疾患の根本的な遺伝的要因を調節し、神経筋疾患および神経変性疾患を治療する

アデノ随伴ウイルス遺伝子治療をより多くの患者さんにとってアクセスしやすくし、希少疾患に加え、一般的な疾患への拡大を目指す

フラッグシッププログラム

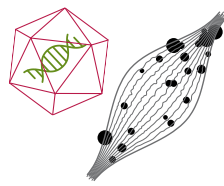
AT845: ポンペ病の基礎にある遺伝的原因を標的にして設計された、アデノ随伴ウイルス(AAV)を活用した遺伝子補充治療



ポンペ病では、体が正常に機能する酵素を産生できないため、筋細胞にグリコーゲンが蓄積し、筋力の低下が進行する

現況

- PoC見極めに向けた解析が進行中



AAV遺伝子治療は、正常な遺伝子のコピーを届けることで、筋細胞が自ら機能する酵素を作れるようにする

後続プログラム

ASP2957: XLMTMを対象とする次世代の遺伝子治療

- 新規の筋肉標的型MyoAAVカプシドを用いて機能的なヒトMTM1遺伝子を送達
- MyoAAVカプシドはDELIVER¹プラットフォームにより開発され、高い筋肉特異性を持ち、肝臓への移行を低減するよう設計

現況

- IND承認を取得し、2026年度1Qに最初の被験者への投与を予定
- VALOR試験²: XLMTMの若年男児を対象としたASP2957遺伝子治療の安全性、忍容性および予備的有効性を評価する第I/II相試験

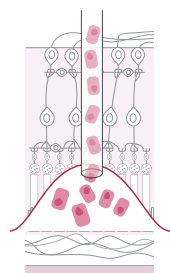
1. DELIVER: "Directed evolution of AAV capsids leveraging in vivo expression of transgene RNA". Tabebordbar M, et al. Cell. 2021;184:4919-4938, 2. ClinicalTrials.gov NCT07052929
PoC: コンセプト検証、IND: 治験許可申請、XLMTM: X連鎖性ミオチューブラーミオパチー

Primary Focus再生と視力の維持・回復： 網膜疾患を抱える患者さんに希望の光を届ける

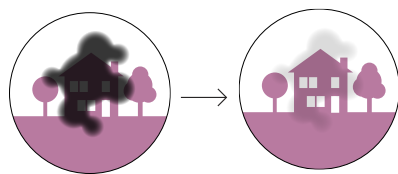
多能性幹細胞やアデノ随伴ウイルスを含む、再生医療や革新的な治療法となりうる様々なモダリティを活用して視力の維持および回復を目指す

フラッグシッププログラム

ASP7317:眼科疾患を対象とした細胞医療として世界で早期に臨床入りを果たした多能性幹細胞由来プログラムの一つ



網膜色素
上皮細胞



網膜機能および視力を
回復させる可能性

多能性幹細胞から作製された網膜色素上皮細胞を、損傷した細胞に置き換えるため眼に移植

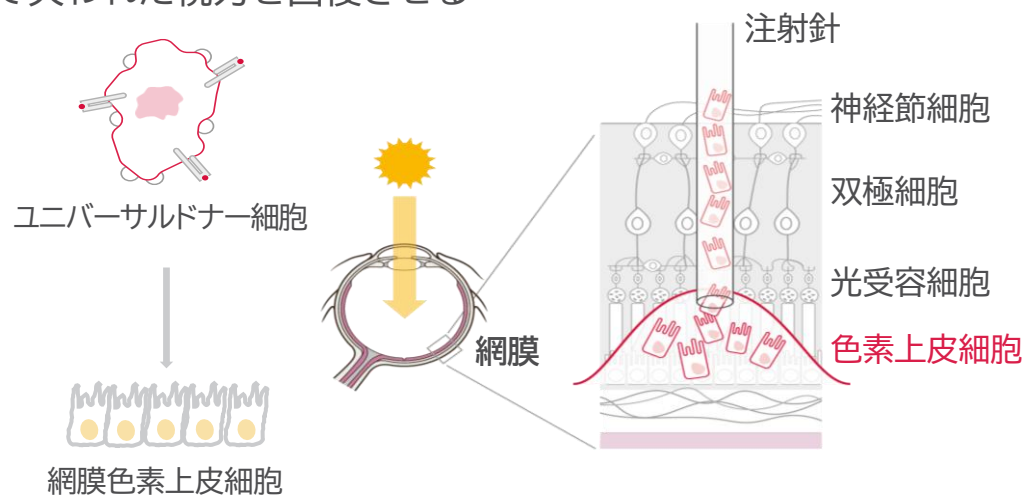
現況

- 地匱状萎縮に伴う重度の視力低下の患者において**PoC達成**
- 第 I b相試験の予備的安全性・有効性データをARVOで発表予定 (2026年5月)

ARVO: Association for Research in Vision and Ophthalmology、IND: 治験許可申請、PoC: コンセプト検証

後続プログラム

ASP2020:ユニバーサルドナー細胞技術を用いた他家細胞医療；網膜色素上皮細胞を置き換え、Stargardt型黄斑ジストロフィーにおいて失われた視力を回復させる



現況

- 2026年度1QにIND予定

持続的な「価値」創造の 実現に向けて



次世代の革新的な医薬品を届けるイノベーションエンジンへ



患者さんに「価値」をより早く届けるために

1 フラッグシッププログラムとLCMの加速

- LCMによる製品価値最大化
- 第Ⅲ相試験開始の加速
- より迅速・効率的な被験者組み入れ

2 後続プログラムへの注力

- プログラム成功確率の向上
- 意思決定の強化
- ケイパビリティ構築による生産性向上

3 次世代イノベーションの創出

- 前臨床・臨床プログラムの質と量を拡充
- より迅速・早期の中止判断
- バイオロジーに注力、トップタレント獲得とパートナーシップ強化

~2034年

2034年までに
10個の新規有効成分が
第Ⅲ相段階に進展

LCM: ライフサイクルマネジメント

まとめ



R&Dの組織およびオペレーティングモデルを抜本的に変革 –

- R&D組織全体にわたり、グローバルで一気通貫のケイパビリティを構築
- 規律を持った、質を重視するフレームワークの活用によるR&D生産性の向上
- 複数のアセットを創出可能な創薬プラットフォームに注力し、パイプラインの加速と拡充を実現

– 長期的かつ持続的な成長を実現し、患者さんにとって真に意義のある「価値」を届ける



Q&A

