

# 2023年度第1四半期決算概況



2023年8月1日  
アステラス製薬株式会社  
代表取締役社長CEO  
岡村 直樹

この資料に記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知リスクと不確実な要素を含んでいます。様々な要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、この資料に含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。開発中の化合物に関する情報は、その化合物の確立された安全性や有効性を示唆するものではなく、開発中の化合物が承認を受けたり、開発中の用途で上市されることを保証するものでもありません。

# 本日の内容

I 2023年度第1四半期 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

# 2023年度第1四半期業績の概要

## 売上収益

- 売上収益は前同比較で2%減少。主な要因はレキスキャン後発品の影響
- XTANDIとゾスパタは想定通りに拡大、パドセブは想定を上回る推移で拡大
- VEOZAHは期待に沿った立ち上がり

## 費用項目

- 販管費、研究開発費は期初予想に沿って推移

## 営業利益

- コア営業利益は前同比較で17%増加(為替の影響含む)

売上収益およびコア営業利益の進捗は、レキスキャン後発品の影響により想定を下回る推移  
一方、将来の成長に寄与する主要ビジネスは順調に推移

# 2023年度第1四半期業績

(億円)	2022年度 1Q実績	2023年度 1Q実績	増減額	増減率	2023年度 期初予想*	進捗率	為替の影響**(前同比較)
売上収益	3,818	3,750	-68	-1.8%	15,200	24.7%	+175億円
売上原価	889	689	-199	-22.4%			-111億円
売上収益比率	23.3%	18.4%	-4.9ppt				
販管費	1,534	1,682	+148	+9.6%	6,610	25.4%	+80億円
内、米国XTANDI共同販促費用	431	446	+14	+3.4%	1,760	25.3%	
上記を除く販管費	1,103	1,236	+133	+12.1%	4,850	25.5%	+55億円
研究開発費	740	646	-94	-12.7%	2,510	25.7%	+24億円
無形資産償却費	107	91	-17	-15.6%			
無形資産譲渡益	2	1	-1	-68.5%			
コア営業利益	553	649	+96	+17.4%	2,900	22.4%	+182億円
<b>&lt;フルベース&gt;</b>							
その他の収益	163	39	-124	-76.0%			その他の費用
その他の費用	384	231	-154	-40.0%			<ul style="list-style-type: none"> <li>為替の変動によるゾルベツキシマブの条件付対価の公正価値増加: 76億円</li> <li>メッペル工場事業譲渡合意に関する減損損失: 73億円</li> </ul>
営業利益	331	458	+126	+38.2%	2,880	15.9%	
税引前四半期利益	317	468	+152	+47.9%	2,890	16.2%	
四半期利益	248	331	+83	+33.5%	2,270	14.6%	

\* 期初予想の為替レート: 1ドル130円、1ユーロ140円

\*\* 前年度1Qに残る未実現利益消去に係る為替の影響128億円を含む。なお、本影響を除くコア営業利益の為替の影響は+54億円

# 2023年度第1四半期業績：主要製品

XTANDIとゾスパタは想定通り、パドセブは想定以上に拡大。VEOZAHは期待に沿った立ち上がり

(億円)	2023年度1Q実績	前同比	期初予想*	
 <b>Xtandi</b> (enzalutamide)	<b>1,741</b>	<b>+117 (+7%)</b>	<b>6,699</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバル売上は期初予想に沿って拡大 米国が想定を下回るも、他の地域の進捗でオフセット</li> <li>✓ 米国：PAPの水準が想定より高く、期初予想を下回る推移 PAPを除く物量は増加(物量前同比+4%) 年度内に承認を見込むM0 CSPCの売上貢献に期待</li> <li>✓ EM: M1 CSPCの成長が牽引し、物量が大きく増加(物量前同比+17%)</li> </ul>
 <b>PADCEV</b> enfortumab vedotin <small>Injection for IV infusion 20 mg &amp; 30 mg vials</small>	<b>152</b>	<b>+47 (+44%)</b>	<b>667</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバル売上は期初予想を上回る推移 年度を通じて四半期ごとに売上の継続成長を見込む</li> <li>✓ 米国：mUC一次治療の追加適応が想定を上回るスピードで市場に浸透、 更なる売上貢献を期待</li> <li>✓ EM: 保険償還が開始となる国数の増加を2Q以降に見込む</li> </ul>
 <b>XOSPATA</b> gilteritinib 40mg tablets	<b>130</b>	<b>+25 (+24%)</b>	<b>493</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ グローバル売上は期初予想に沿った推移</li> <li>✓ 発売する全ての地域で想定通りに拡大</li> </ul>
 <b>VEOZAH</b> <sup>TM</sup> (fezolinetant) tablets 45 mg	<b>6</b>	<b>+6</b>	<b>493</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 5月に発売、6月から情報提供を開始し、期待に沿った立ち上がり</li> <li>✓ 本格的な売上成長は3Q以降を見込む</li> </ul>

\* 期初予想の為替レート：1ドル130円、1ユーロ140円、XTANDIとパドセブの地域別売上はスライド21-22に掲載

PAP: Patient Assistance Program(患者アクセスプログラム)、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

EM(Established Markets(エスタブリッシュドマーケット)): 欧州、カナダ等

# VEOZAHのビジネスアップデート

5月に発売、6月から情報提供を開始し、推奨薬剤として治療ガイドラインに掲載  
全体的な進捗は期待に沿った推移、3Q以降に本格的な売上成長を見込む

## 1Qの進捗

### マーケットアクセス

- 民間保険カバレッジは想定通りに推移（約15%）
- Payer(支払者)との協議は想定を上回る進捗
- 広範な患者支援プログラムを提供

### 医師

- 4万人の医師に対面で面会
- 7万ボトルのサンプルを配布
- 4万の医師が専用サイトにアクセス

### 患者

本格的なDTC活動は開始していない

2Qまでは医師への活動に注力  
カバレッジ拡大までは患者支援プログラムを通じて患者の治療体験の積み重ねに注力

## 3Q以降の見通し

広範な民間保険カバレッジを想定

2023年度末までに大部分の  
民間保険カバレッジの対象となる見込み

テレビCMを含め、  
本格的なDTC活動を開始予定

保険カバレッジの拡大と本格的なDTC活動の開始により、  
3Q以降に本格的な売上成長を見込む  
493億円の通期予想の達成を目指す

# 2023年度第1四半期業績：費用項目

売上原価率は想定通り  
販管費および研究開発費は期初予想に沿って推移

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	対期初予想 進捗率	
売上原価	22.4%減少	18.4% (前同-4.9ppt)	-	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 前年度1Qに未実現利益消去に係る為替の影響128億円を計上していたため前同比較で減少</li><li>✓ 売上原価率は想定通り</li></ul>
販管費 米国XTANDI共同 販促費用を除く	12.1%増加 (為替の影響を 除くと7.1%増加)	33.0% (前同+4.1ppt)	25.5%	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ VEOZAH関連の費用増加(対前同:約+50億円)</li><li>✓ 成熟製品の費用削減(対前同:約-10億円)</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、期初予想に沿った推移</li></ul>
研究開発費	12.7%減少 (為替の影響を 除くと16.0%減少)	17.2% (前同-2.2ppt)	25.7%	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 前年度1QにVEOZAH申請時のPRV使用に伴う一時費用131億円を計上していたため、前同比較で大幅に減少</li><li>✓ 期初予想に沿った推移</li></ul>



# 2023年度通期業績予想 修正予想

- コアベースの通期業績予想は変更なし
  - ✓ Iveric Bio社買収に伴う業績への影響も含め、2Qに見直す予定
- フルベースの利益を下記の主な理由により下方修正
  - ✓ 日本での営業体制の見直しを含め、グローバルでの組織改革に伴う一時費用を計上予定:約200億円
  - ✓ メッペル工場事業譲渡に関する減損損失:約70億円

(億円)	期初予想	修正予想	差異
営業利益	2,880	2,590	-290
当期利益	2,270	2,040	-230

# 本日の内容

I 2023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：2023年度に期待される主なイベント

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)
エンザルタミド/ XTANDI	★ 申請提出 (M0 CSPC、米国) 6月	申請 (M1 CSPC、中国)	申請 (M0 CSPC、欧州)	
エンホルツマブ ベドチン/ パドセブ		EV-302試験TLR*		申請 (1L mUC、グローバル)
ゾルベツキシマブ	★ 申請受理(日本) 6月	★ 申請受理(米国、欧州、中国) 7月		審査終了目標日 (PDUFA date) 🎯 1月
fezolinetant/ VEOZAH	★ 承認(米国) 5月	PDUFA date 🎯 8月	当局判断 (欧州)	
avacincaptad pegol(ACP)		申請提出 (欧州) ★ 7月	GATHER2試験 TLR(24カ月)	

-  当局判断
-  申請
-  データ判明
-  達成

## <その他のアップデート>

2023年7月時点

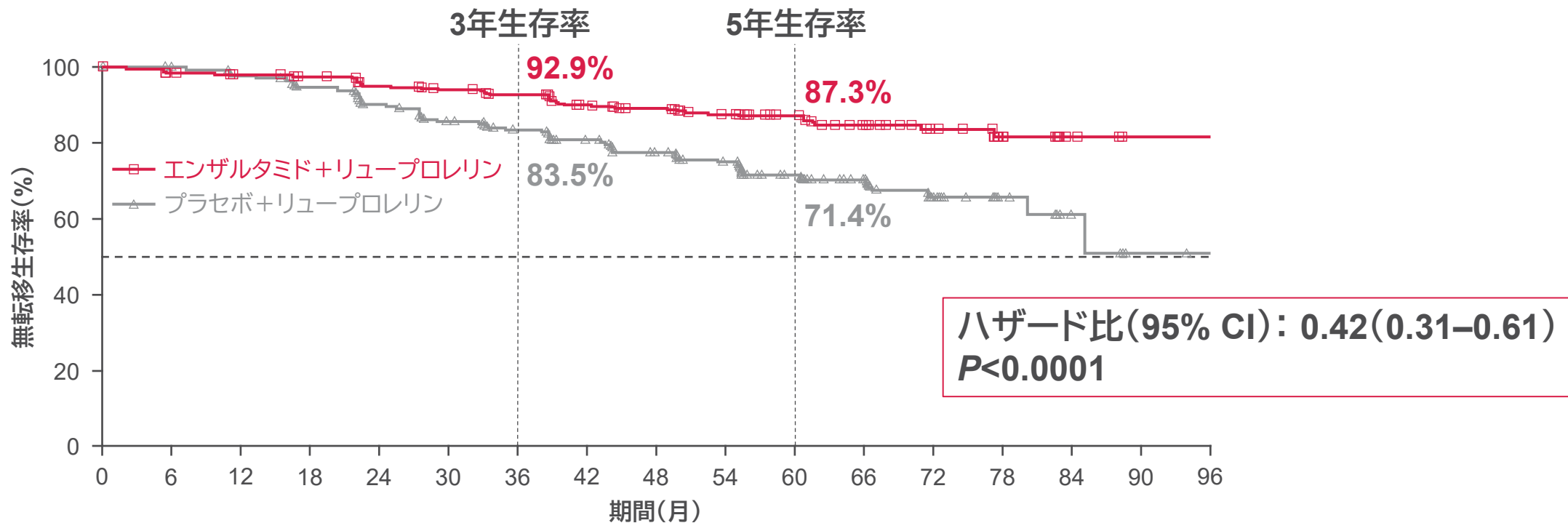
- エンザルタミド/XTANDI：2023年4月に第Ⅲ相EMBARC試験の結果を米国泌尿器科学会(AUA)で発表
- エンホルツマブ ベドチン/パドセブ：2023年6月に第Ⅱ相EV-202試験および第Ⅰ相EV-104試験の初回データを米国臨床腫瘍学会(ASCO)で発表
- fezolinetant/VEOZAH：2023年6月に第Ⅲb相DAYLIGHT試験のトップライン結果を入手
- ギルテリチニブ/ゾスパタ：2023年6月に第Ⅲ相MORPHO試験の結果を欧州血液学会(EHA)で発表

\* TLRの入手時期はイベント発生に依存するため変動の可能性あり

M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、M1:転移性、TLR:トップライン結果、1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、PDUFA:Prescription Drug User Fee Act、AUA:American Urological Association、ASCO:American Society of Clinical Oncology、EHA:European Hematology Association

# エンザルタミド／XTANDI: 最新データ

EMBARC試験データを米国泌尿器科学会(AUA 2023)で発表:  
 早期ステージの前立腺がんにおいてもエンザルタミドの一貫した有用性が証明



Patients at risk

エンザルタミド+LEU	355	331	324	318	304	292	281	265	251	234	180	116	60	24	6	0	0
プラセボ+LEU	358	335	321	303	280	259	238	221	203	183	138	88	32	15	6	1	0

対象患者:  
 M0 CSPC(生化学的再発高リスク)

# エンホルツマブ ベドチン/パドセブ: 最新データ

EV-202試験データを米国臨床腫瘍学会(ASCO 2023)で発表:頭頸部がんにおいて有望な有効性

## 頭頸部がん

- 世界で6番目に多いがん<sup>1</sup>:  
推定で93.2万の新規症例、46.7万人が死亡(2020年)<sup>2</sup>
- 5年生存率: 40-50%<sup>3</sup>
- 進行性がんに対する二次治療としてPD-1/L1阻害剤が承認:  
過去に報告された客観的奏効率(ORR)は13-18%<sup>4</sup>
- 頭頸部がんにおけるネクチン-4発現頻度: 59-86%<sup>5</sup>

## EV-202試験 コホート5

### 試験デザイン

対象患者	治療歴のある進行性頭頸部がん患者 (n=46)
投与レジメン	エンホルツマブ ベドチン単剤療法 (28日サイクルの1、8、15日目に投与)

### 結果

ORR [95% 信頼区間]	23.9% [12.6-38.8]
安全性	新たな安全性のシグナルは認められず

## 今後の計画

- 二次治療以降: 今後の方針を検討中
- 一次治療: EV-202試験にペムブロリズマブ併用コホートを追加予定

1. Nat Rev Dis Primers 6:92 (2020)

2. Global cancer observatory: CANCER TODAY. Published 2020. <https://gco.iarc.fr/today>

3. J Glob Oncol 5:1 (2019)

4. CheckMate 141: N Engl J Med 375:1856 (2016); KEYNOTE-012: J Clin Oncol 34:3838 (2016)

5. Cancer Res 76:3003 (2016); Oncotarget 13:1166 (2022)

# Iveric Bio社買収



IVERIC  
BIO  
An Astellas Company



## President: Pravin U. Dugel, MD

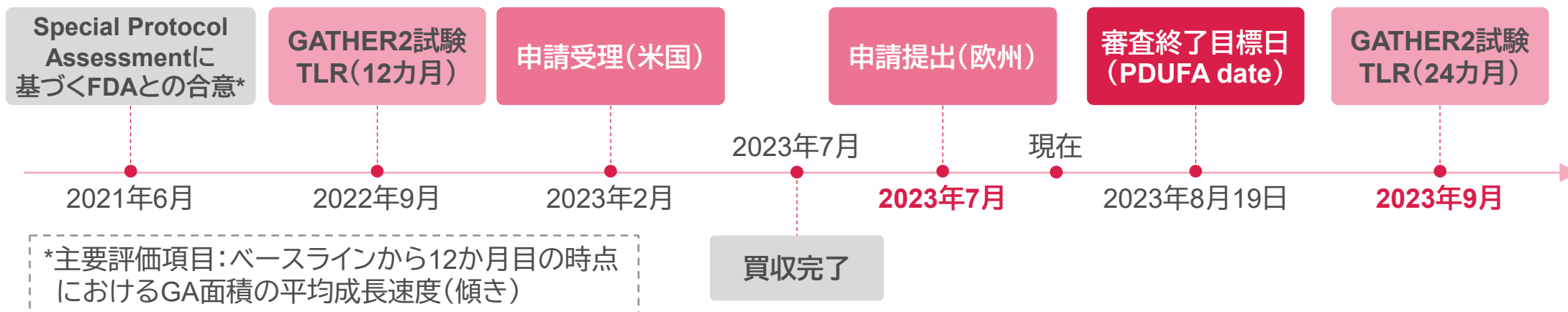
- 100以上の多施設臨床試験で治験責任医師
- 複数のグローバル製薬企業でSABの議長、50以上の企業に対するコンサルタント
- 米国<sup>1</sup>および欧州<sup>2</sup>で最大の網膜関連学会における理事会メンバー



## 組織体制

- Iveric Bioが薬事、製造、営業、マーケットアクセスを含むACP関連活動をリード
- 眼科領域で豊富な経験を有するリーダーシップチーム
- 専門性の高いコマーシャル機能を整備
  - ✓ フィールドセールスチームは、承認取得後、網膜専門医と連携先を100%カバーすることを目標に展開

## <ACPに関する主なイベント>



# Focus Areaアプローチの進展(1/2): 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*	プロジェクト	作用機序	現況
遺伝子治療	遺伝子置換(AAV)	AT132	MTM1遺伝子	2021年9月にFDAから臨床試験差し止め(clinical hold)指示
		AT845	GAA遺伝子	FORTIS試験再開に向けた活動を2023年2月に開始
がん免疫	遺伝子調節(AAV)			
	チェックポイント	ASP1570	DGKζ阻害剤	第 I 相試験進行中
	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 <b>2023年5月にFDAからオーファンドラッグ指定を取得(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん)</b>
		ASP2074	非開示	第 I 相試験進行中
		ASP1002	非開示	第 I 相試験進行中
	腫瘍溶解性ウイルス(全身投与)			
がん細胞医療(UDC)				
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317	網膜色素上皮細胞	<b>2023年6月に第 I b相試験再開後の最初の投与を2例で達成</b>
	細胞補充(UDC)			
	遺伝子調節(AAV)			
ミトコンドリア	遺伝子調節とミトコンドリア生合成	ASP0367	PPARδ調節剤	PMM: 第 II / III 相試験進行中 DMD: 今後の開発計画検討中
標的タンパク質分解誘導	タンパク質分解誘導剤	ASP3082	KRAS G12D分解	第 I 相試験進行中
Primary Focus 候補	細胞による免疫調節・制御			
	組織特異的免疫応答制御			

モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞

\* 全ては列挙していない

AAV: アデノ随伴ウイルス、MTM1: ミオチュブラリン1、FDA: 米国食品医薬品局、GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、DGK: ジアシルグリセロールキナーゼ、UDC: ユニバーサルドナー細胞、PPAR: ペルオキシソーム増殖剤活性化受容体、PMM: 原発性ミトコンドリアミオパチー、DMD: デュシェンヌ型筋ジストロフィー、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue

# Focus Areaアプローチの進展(2/2): Primary Focus「標的タンパク質分解誘導」の提携拡大

ペプチドリーム社の  
PDPS技術を活用:

- 多様な標的を対象とする複数の新規タンパク質分解誘導剤の創出

応用展開



NEW

PeptiDream 2023年7月

標的タンパク質バインダー:  
Undruggableとされてきた標的  
に対する独自のバインダー

標的  
タンパク質  
バインダー

E3  
バインダー

機能強化



E3バインダー:  
特異性、作用持続、知財性

FIMECS社のRaPPIDS™  
技術を活用:

- 効率的なタンパク質分解誘導剤合成プラットフォーム
- がん選択的E3バインダー



NEW  
2023年6月

Cullgen社のuSMITE™ 技術を活用:

- 細胞周期関連タンパク質に加え、複数の標的を対象とするタンパク質分解誘導剤の創出
- 新規E3バインダーを活用した次世代タンパク質分解誘導剤の創出



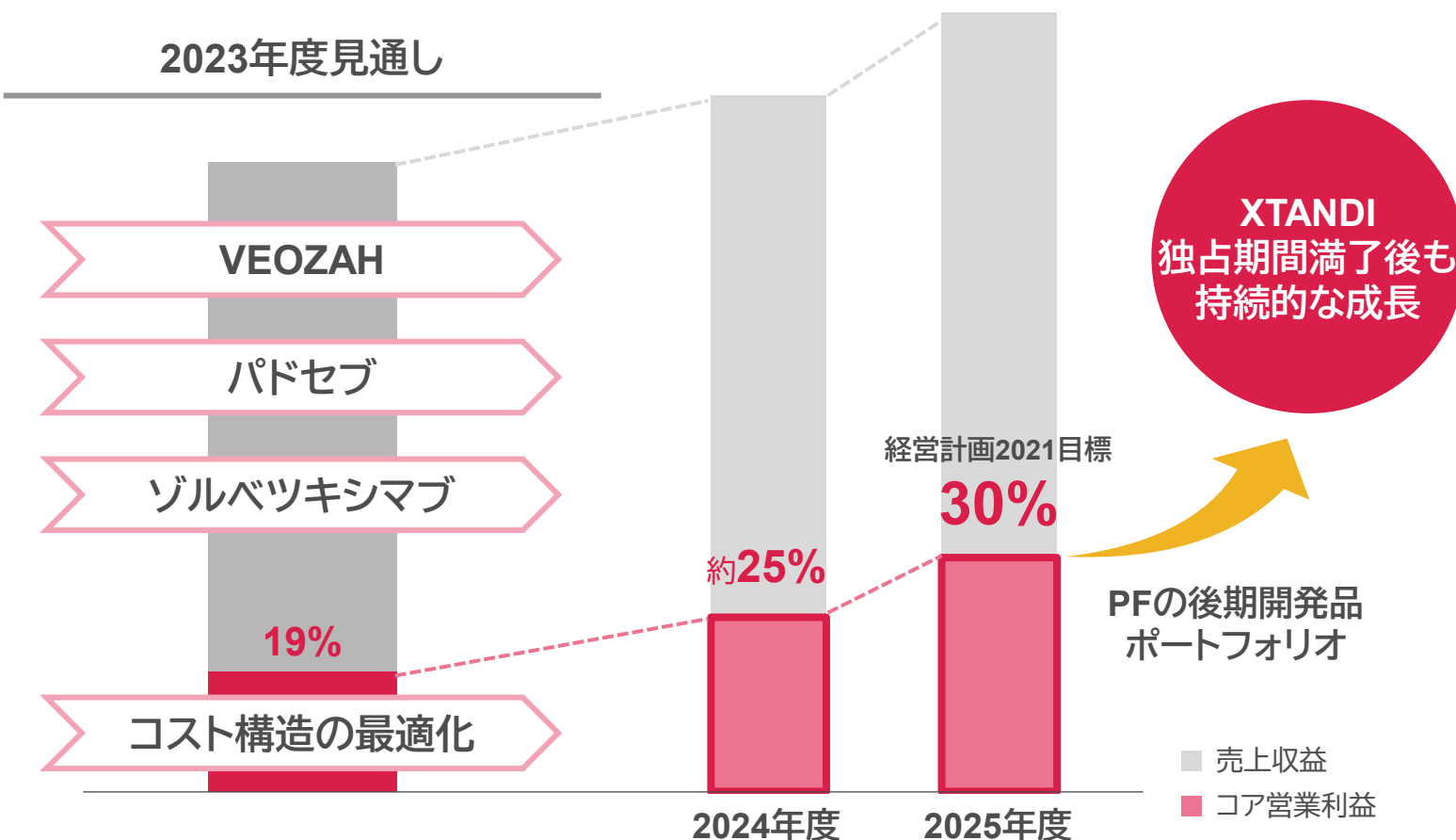
# 経営計画2021達成に向けて

引き続き経営計画2021の達成に拘る  
2023年度は2024年度以降の成長を確実にするための転換点


## 2023年度1Qの進捗

- VEOZAH発売、期待に沿った立ち上がり
- XTANDIとゾスパタは想定通り、パドセブは想定を上回る
- ゾルベツキシマブ申請
- Iveric Bio社買収
- PF「標的タンパク質分解誘導」の提携拡大
- コスト構造の最適化に向けた取り組みが進展

## 2023年度見通し



# 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(赤字)のとおり

(億円)	会計期間				
	2022年度				2023年度
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q
売上収益	3,818	3,804	4,022	3,543	3,750
売上原価	761	755	744	623	689
売上収益比率	19.9%	19.9%	18.5%	17.6%	18.4%
販管費	1,534	1,546	1,630	1,593	1,682
内、米国XTANDI共同販促費用	431	465	486	373	446
上記を除く販管費	1,103	1,080	1,144	1,220	1,236
研究開発費	740	652	669	701	646
無形資産償却費	107	92	92	93	91
無形資産譲渡益	2	0	0	0	1
コア営業利益	681	773	883	532	649
(参考) コア営業利益への影響額*	+128	-128	-	-	-

\* 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

# 2023年度第1四半期業績：地域別売上収益

(億円)	2022年度 1Q実績	2023年度 1Q実績	増減率
日本	668	683	+2.2%
米国	1,609	1,500	-6.8%
エスタブリッシュドマーケット	866	968	+11.8%
グレーターチャイナ	232	225	-2.7%
インターナショナルマーケット	339	347	+2.4%

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ 等、 グレーターチャイナ：中国、香港、台湾  
インターナショナルマーケット：中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、韓国、オーストラリア、輸出売上 等

# 2023年度第1四半期業績: XTANDI (地域別)

	2023年度1Q実績	前同比	期初予想
グローバル売上	1,741億円	+117億円 (+7%) 為替の影響を除く [ +19 (+1%) ]	6,699億円 (前期比: +1%)
米国 (\$ベース)	\$632M	\$-15M (-2%)	\$2,635M (+4%)
エスタブリッシュド マーケット (€ベース)	€365M	€+26M (+8%)	€1,419M (+1%)
日本	144億円	+3億円 (+2%)	582億円 (+6%)
グレーターチャイナ	44億円	+8億円 (+23%)	145億円 (+31%)
インターナショナル マーケット	138億円	-1億円 (-1%)	559億円 (+1%)

エスタブリッシュドマーケット: 欧州、カナダ 等、 グレーターチャイナ: 中国、香港、台湾  
 インターナショナルマーケット: 中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、韓国、オーストラリア、輸出売上 等

# 2023年度第1四半期業績：パドセブ（地域別）

	2023年度1Q実績	前同比	期初予想
グローバル売上	152億円	+47億円 (+44%) 為替の影響を除く 〔 +39 (+37%) 〕	667億円 (前期比: +50%)
米国（\$ベース）	\$76M	+\$20M (+35%)	\$341M (+59%)
エスタブリッシュド マーケット（€ベース）	€16M	€+7M (+79%)	€82M (+70%)
日本	22億円	+3億円 (+13%)	99億円 (+18%)
インターナショナル マーケット	1億円	+1億円	9億円

エスタブリッシュドマーケット：欧州、カナダ 等

インターナショナルマーケット：中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、韓国、オーストラリア、輸出売上 等

# 為替レート(実績)

## 期中平均レート

通貨	2022年度1Q	2023年度1Q	変動
ドル	130円	137円	8円安
ユーロ	138円	150円	11円安

## 期首-期末レートの変動

通貨	2022年度1Q	2023年度1Q
ドル	14円安	12円安
ユーロ	8円安	14円安

### 【為替の業績への影響】

- 売上収益: 175億円の増加、コア営業利益: 182億円\*の増加

\* 前年度1Qに残る未実現利益消去に係る為替の影響128億円を含む。なお、本影響を除くコア営業利益の為替の影響は+54億円

# 2023年度通期業績予想：為替レート、為替感応度

為替レート的前提（期中平均）	2022年度	2023年度予想	変動
ドル	135円	130円	5円高
ユーロ	141円	140円	1円高

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	
	売上収益	コア営業利益
ドル	約66億円減少	約28億円減少
ユーロ	約11億円減少	約12億円減少



# バランスシートおよびキャッシュ・フローのハイライト

(億円)	2023年3月末	2023年6月末
総資産	24,565	27,980
現金及び現金同等物	3,768	5,615
親会社所有者帰属持分	15,080	15,784
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.4%	56.4%

(億円)	2022年度1Q	2023年度1Q
営業CF	488	122
投資CF	-191	-123
フリーCF	297	-1
財務CF	-466	1,650
短期借入金及びCPの増減額	150	2,340
自己株式取得	-106	-107
配当金支払額	-457	-539

2023年6月末時点 資金調達残高:3,590億円

なお、2023年8月1日時点の資金調達残高は9,690億円

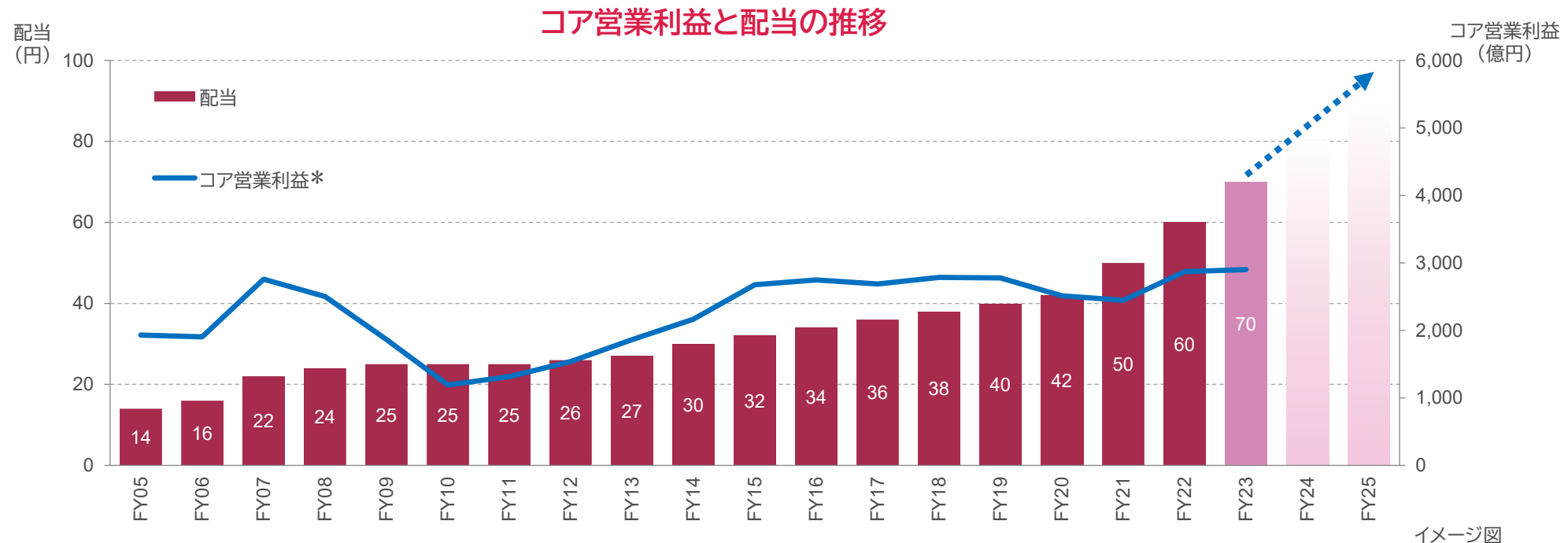
# キャピタルアロケーション

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



\* 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)
■ ASP1570
■ ASP2138
■ ASP2074
■ ASP1002
■ ASP7317
■ bocidelpar/ASP0367 (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)
■ AT845
■ ASP3082
■ 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)
■ ゾルベツキシマブ (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)
■ avacincaptad pegol (Stargardt病)
■ bocidelpar/ASP0367 (原発性ミトコンドリアミオパチー)

## 第III相

■ エンザルタミド (M0 CSPC:欧州、M1 CSPC:中国)
■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のないmUC、MIBC)
■ ギルテリチニブ (より早期ステージのAML、小児)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状:中国)
■ ミラベグロン (小児:欧州)

## 申請

■ エンザルタミド (M0 CSPC:米国)
■ エンホルツマブ ベドチン (治療歴のあるmUC:中国)
■ ゾルベツキシマブ (胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん: 日本、米国、欧州、中国)
■ fezolinetant (閉経に伴う血管運動神経症状:欧州)
■ avacincaptad pegol (地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性:米国、欧州)
■ ペフィシチニブ (関節リウマチ:中国)
■ isavuconazole (小児:米国)

- 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



## エンザルタミド

非転移性去勢感受性前立腺がん: 米国

## fezolinetant

閉経に伴う中等度から重度の血管運動神経症状: 米国

## ゾルベツキシマブ

胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん: 日本、米国、欧州、中国

## isavuconazole

小児における侵襲性アスペルギルス症および侵襲性ムーコル症: 米国

## 開発中止

**ASP0598:** 慢性鼓膜穿孔(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"> <li>中国:第Ⅲ相China ARCHES試験のトップライン結果を2023年3月に入手</li> </ul>
	M0 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国で追加適応の承認申請を2023年6月に提出。第Ⅲ相EMBARC試験のトップライン結果を2023年4月の米国泌尿器科学会(AUA)で発表</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)。米国で追加適応の迅速承認を2023年4月に取得(シスプラチン不適応)</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</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。第Ⅰ相EV-104試験の初回データを2023年6月の米国臨床腫瘍学会(ASCO)で発表</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)。第Ⅱ相EV-202試験の初回データを2023年6月のASCOで発表</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MORPHO試験の結果を2023年6月の欧州血液学会(EHA)で発表</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	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	<ul style="list-style-type: none"> <li>日本で承認申請が2023年6月に受理。米国、欧州、中国で承認申請が2023年7月に受理</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 / VEOZAH	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2023年5月に承認取得。欧州で承認申請が2022年9月に受理。第Ⅲb相DAYLIGHT試験のトップライン結果を2023年6月に入手</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試験のトップライン結果を2023年3月に入手</li> </ul>
avacincaptad pegol	地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性 Stargardt病	<ul style="list-style-type: none"> <li>米国で承認申請が2023年2月に受理。欧州で承認申請を2023年7月に提出</li> <li>第Ⅱb相試験進行中</li> </ul>

# XTANDIおよび重点戦略製品：ピーク時売上予想(2023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
VEOZAH (fezolinetant)	3,000 - 5,000
パドセブ (エンホルツマブ ベドチン) <sup>1</sup>	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
エベレンゾ (ロキサデュスタット) <sup>2</sup>	500 未満 <sup>3</sup>
AT132 (resamirigene bilparvovec)	500 未満

注) ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2023年7月時点)

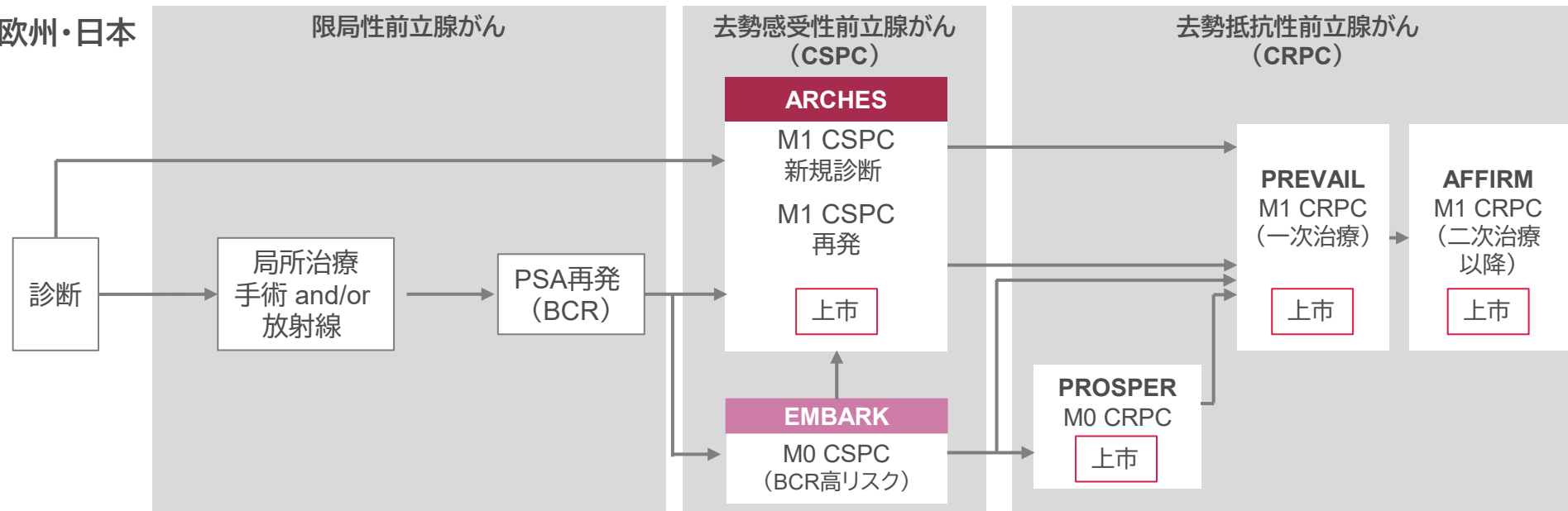
1. 米州については、パートナーのSeagen社が計上する売上を用いて算出、

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

# エンザルタミド(1/2): アンドロゲン受容体阻害剤

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

米国・欧州・日本



第Ⅲ相: EMBARK

[NCT02319837](#)

M0 CSPC

エンザルタミド + ADT vs. プラセボ + ADT  
vs. エンザルタミド単剤

n=1,068

2023年6月に米国で追加適応の承認申請を提出

中国

• M1 CSPC: 第Ⅲ相China-ARCHES試験(NCT04076059)のトップライン結果を2023年3月に入手

# エンザルタミド(2/2): 病期別第Ⅲ相試験データ

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

早期前立腺がんにおいても薬効を示す

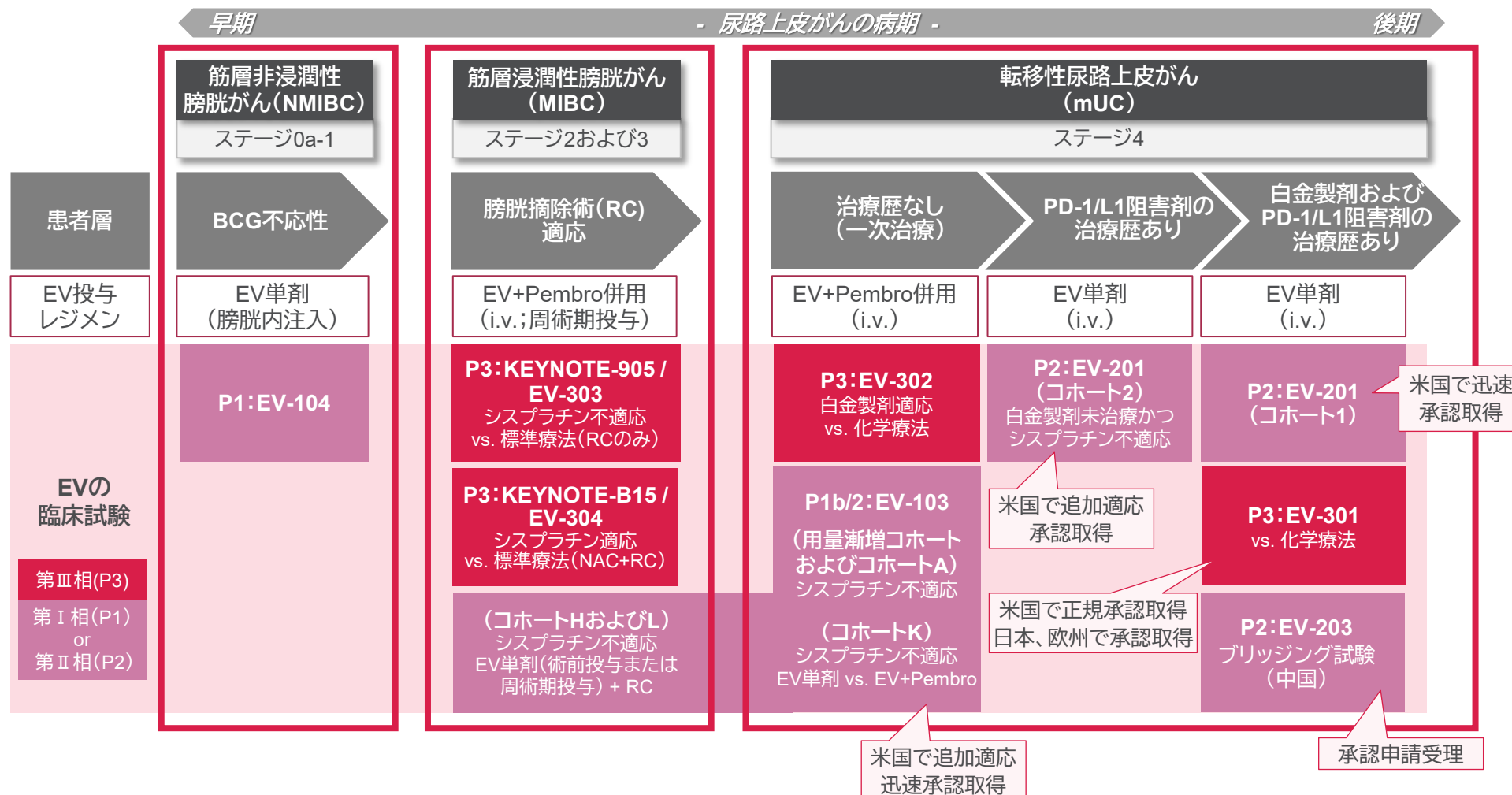
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

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

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

## 尿路上皮がん

第Ⅲ相:EV-301	<a href="#">NCT03474107</a>	白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC; EV単剤 vs. 化学療法	n=608	2021年7月に米国で正規承認取得。 2021年9月に日本で承認取得。2022年4月に欧州で承認取得
第Ⅲ相:EV-302	<a href="#">NCT04223856</a>	治療歴がなく白金製剤適応のmUC;EV + Pembro vs. 化学療法	n=990	症例組み入れ終了
第Ⅲ相:EV-303 /KEYNOTE-905	<a href="#">NCT03924895</a>	シスプラチン不適応のMIBC; Pembro +/- EV(周術期)+ RC vs. RCのみ	n=857	FSFT(EV + Pembro併用群):2020年12月
第Ⅲ相:EV-304 /KEYNOTE-B15	<a href="#">NCT04700124</a>	シスプラチン適応のMIBC; EV + Pembro(周術期投与) + RC vs. 化学療法(術前投与) + RC	n=784	FSFT:2021年5月
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月に米国で追加適応承認取得
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(オープン):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月に米国で追加適応の 迅速承認取得 症例組み入れ終了
第Ⅱ相:EV-203	<a href="#">NCT04995419</a>	<ブリッジング試験(中国)> 白金製剤およびPD-1/L1阻害剤の治療歴があるmUC;EV単剤	n=40	2023年3月に承認申請受理
第Ⅰ相:EV-104	<a href="#">NCT05014139</a>	BCG不応性の高リスクNMIBC;EV単剤を膀胱内注入	n=58	FSFT:2022年1月

## その他の種類の固形がん

第Ⅱ相: EV-202	<a href="#">NCT04225117</a>	ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん、トリプルネガティブ乳がん、 扁平上皮非小細胞肺癌、非扁平上皮非小細胞肺癌、頭頸部がん、 胃腺がん・食道腺がんまたは食道胃接合部腺がん、 食道扁平上皮がん;EV単剤 <b>頭頸部扁平上皮がん;EV + Pembro</b>	n=320	EV単剤コホートの症例組み入れ終了 2022年6月に初回トップライン結果を入手
----------------	-----------------------------	--	-------	--

# エンホルツマブ ベドチン(EV)(3/4): 病期別臨床試験データ

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

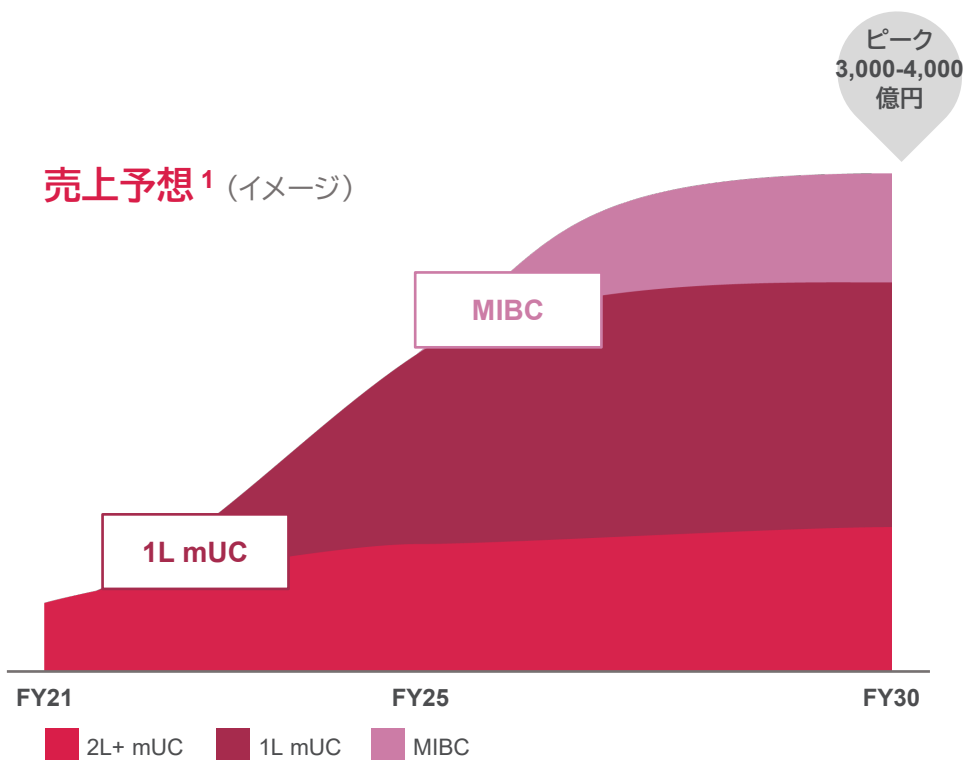
病期	早期		後期						
	筋層浸潤性膀胱がん		転移性尿路上皮がん						
	手術適応		治療歴なし(一次治療)			PD-1/L1阻害剤の治療歴あり			
	Cis適応	Cis不適応	白金製剤適応	Cis不適応		白金製剤未治療かつCis不適応	白金製剤の治療歴あり		
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2		Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK		EV-103 コホートA & 用量漸増コホート	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)	✓ (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)	(試験進行中)	(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)	(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	✓ 22.1カ月 **	✓ 13.8カ月 **	✓ 7.6カ月	✓ 7.4カ月 vs. 8.1カ月 *

✓:結果入手済、\*:事前に設定した中間解析、\*\*:最新結果

# エンホルツマブ ベドチン(EV)(4/4): 今後の展望

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

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



## <承認取得済み/開発後期段階>

患者層		ピボタル試験 (EV用法)	申請目標時期	対象患者数 <sup>2</sup>
MIBC	Cis不適応	EV-303 (Pembro併用)	2025年度以降	10,000
	Cis適応	EV-304 (Pembro併用)	2025年度以降	37,000
1L mUC		EV-302 EV-103コホート [第 I b/II 相; 米国迅速承認申請] (Pembro併用)	2024年度 承認取得済 [米国迅速 承認申請]	76,000 (うち米国 Cis不適応: 8,000-9,000)
2L + mUC	PD-1/L1 阻害剤による 治療歴あり、 かつCis不適応	EV-201 コホート2 [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>

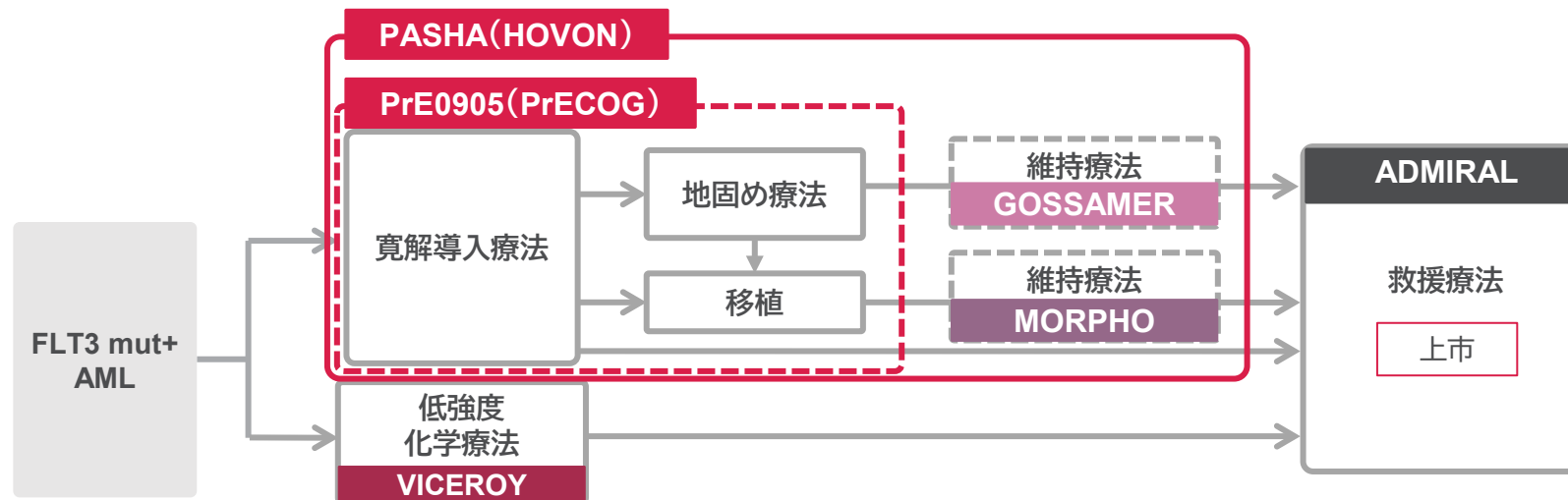
患者層	試験 (EV用法)
NMIBC BCG不応性、 高リスク	EV-104 [第 I 相] (単剤、膀胱内注入)
その他固形がん	EV-202 [第 II 相]* (単剤* / Pembro併用**)

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

\*\*Pembro併用:  
頭頸部扁平上皮がん

# ギルテリチニブ: FLT3阻害剤

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)



再発または難治性	第Ⅲ相:ADMIRAL	<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=768	症例組み入れ終了(治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	<a href="#">NCT03836209</a>		n=179	
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	2023年3月にトップライン結果を入手 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	FSFT:2023年1月

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

# ゾルベツキシマブ: 抗Claudin 18.2モノクローナル抗体

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

## ターゲット: Claudin 18.2

- タイトジャンクションの主要な構成因子で、上皮細胞層の細胞間の隙間をふさぐ
- 様々ながん種において広範囲に発現
  - ✓ 胃がん患者の38%で、Claudin 18.2の高発現が認められる
  - ✓ 原発性膵臓腺がん患者の約60%で発現、そのうち約20%が進行中の第Ⅱ相試験の組入れ基準に合致すると推定

## 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん

- 対象となる患者層:  
HER2陰性・Claudin 18.2高発現の局所進行性または転移性胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん
- 転移性胃がんは、ステージ4における5年生存率が約6%で、治療オプションも限られている、アンメットニーズが非常に高い疾患である

胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん	第Ⅲ相: SPOTLIGHT	<a href="#">NCT03504397</a>	一次治療、mFOLFOX6との併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=566	2023年6月に日本で、2023年7月に米国、欧州、中国 で承認申請が受理
	第Ⅲ相: GLOW	<a href="#">NCT03653507</a>	一次治療、CAPOXとの併用、二重盲検、vs. プラセボ	n=507	
	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	n=116	
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まだ一定数存在する

## 米国および欧州

第Ⅲ相: SKYLIGHT 1	<a href="#">NCT04003155</a>	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 12週:二重盲検、30 mg、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=527	2023年5月に米国で承認取得 2022年9月に承認申請が欧州で受理
第Ⅲ相: SKYLIGHT 2	<a href="#">NCT04003142</a>	40週:実薬継続投与、30 mg または 45 mg	n=501	
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	<a href="#">NCT04003389</a>	閉経に伴うVMSを有する患者 52週:二重盲検、30 mg、45 mg vs. プラセボ(1:1:1)	n=1,831	
第Ⅲb相: DAYLIGHT	<a href="#">NCT05033886</a>	閉経に伴う中等度から重度のVMSを有するHRT不適応の患者 24週:二重盲検、45 mg vs. プラセボ(1:1)	n=453	2023年6月にトップライン結果を入手

## 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	2023年3月にトップライン結果を入手
---------------------	-----------------------------	---	-------	---------------------

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  
LSLV:最終症例における最終観察

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

## 地図状萎縮

- 萎縮型加齢黄斑変性の進行に伴い発症
- 米国の患者数:約160万人<sup>1</sup>
- 患者のおよそ半数が両目に罹患
- 約40%の患者は失明に至る。増加を続ける失明における上位の原因

## ACPの特徴

- 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
- FDAからブレイクスルーセラピー指定を取得(2022年11月)
- FDA承認申請中(優先審査指定、審査終了目標日:2023年8月19日)

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2月に米国で承認申請が受理 <b>2023年7月に欧州で承認申請を提出</b>
	第Ⅲ相: GATHER2	<a href="#">NCT04435366</a>	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	<a href="#">NCT03364153</a>	vs. 対照群	n=120	FSFT: Jan 2018



# Focus Areaアプローチ：2023年度に期待される主なイベント

4プロジェクトで臨床入り、複数のプロジェクトでPoC見極めに向けた第 I 相試験の進展を予定

Primary Focus	臨床入り	第 I 相試験	
		初期データ判明*	投与再開
遺伝子治療	1プロジェクト		AT845
がん免疫	2プロジェクト	ASP1570 ASP2138	
再生と視力の維持・回復			✓ ASP7317
標的タンパク質分解誘導	1プロジェクト (pan-KRAS)	ASP3082	

✓:達成

変化する医療の最先端へ

