

2021年度第1四半期決算概況



2021年7月30日

アステラス製薬株式会社

代表取締役副社長 経営戦略・財務担当役員

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。

本日の内容

I
2021年度第1四半期 連結業績
2021年度業績 修正予想

II
持続的な成長に向けた取り組み

2021年度第1四半期業績

| (億円) | 20年度1Q | 21年度1Q | 増減額 | 増減率 | 21年度 期初予想 | 進捗率 | 為替の影響 |
|----------------------|--------------|--------------|-------------|---------------|---------------|--------------|--------|
| 売上収益 | 3,070 | 3,261 | +192 | +6.2% | 13,230 | 24.7% | +136億円 |
| 売上原価 | 597 | 622 | +26 | +4.3% | | | |
| 売上収益比率 | 19.4% | 19.1% | -0.4 ppt | | | | |
| 販管費 | 1,208 | 1,371 | +163 | +13.5% | 5,410 | 25.3% | |
| 内、米国XTANDI共同販促費用 | 315 | 345 | +30 | +9.4% | | | |
| 上記を除く販管費 | 893 | 1,026 | +134 | +15.0% | | | |
| 研究開発費 | 573 | 583 | +10 | +1.8% | 2,420 | 24.1% | |
| 無形資産償却費 | 59 | 60 | +1 | +1.8% | | | |
| コア営業利益 | 634 | 628 | -6 | -0.9% | 2,700 | 23.3% | +61億円 |
| <フルベース> | | | | | | | |
| その他の収益 | 22 | 4 | -18 | - | | | |
| その他の費用 | 48 | 271 | +223 | - | | | |
| 営業利益 | 608 | 361 | -247 | -40.7% | 2,650 | 13.6% | |
| 税引前四半期利益 | 602 | 358 | -244 | -40.5% | 2,630 | 13.6% | |
| 四半期利益 | 504 | 307 | -197 | -39.1% | 2,090 | 14.7% | |

2021年度第1四半期業績の概要

前同比較で売上収益は増加、コア営業利益は同水準
通期予想の前提に沿った業績

- XTANDIおよび重点戦略製品* の売上は予想通り拡大
成熟製品の移管・譲渡による売上の減少をカバー
- 販管費は若干予想を上回る進捗、研究開発費は予想通り使用

フルベース：利益段階は通期予想に対して下振れ

- 業績予想に織り込んでいない無形資産の減損損失の計上：
ASP0892、bleselumabの開発中止

2021年度第1四半期業績：売上収益

XTANDIおよび重点戦略製品* の成長で成熟製品の移管・譲渡による売上の減少をカバーして増収。為替の影響や前年度のCOVID-19の影響の反動も一時的なプラス要因

| | 20年度1Q | 21年度1Q | 増減額 | 増減率 |
|------|---------|---------|--------|-------|
| 売上収益 | 3,070億円 | 3,261億円 | +192億円 | +6.2% |

XTANDIおよび重点戦略製品の増加

XTANDI、ゾスパタ、PADCEV、エベレンゾ **+253**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 **+96**億円

販促活動終了、製造権移管、製品譲渡の影響

セレコックス、リピトール、エリガード **-175**億円 

2021年度第1四半期業績：主要製品売上

2021年度1Q実績

XTANDI

1,329億円

前同：+210億円(+19%)

通期予想進捗率：24%

- ✓ グローバル売上は拡大、予想通りの推移（主に米国、欧州で売上拡大）
- ✓ 欧州でM1 CSPCの適応追加。英国NICEから使用推奨
- ✓ 保険償還が開始された中国では物量が想定を上回り増加

ゾスパタ

83億円

前同：+27億円(+48%)

通期予想進捗率：23%

- ✓ グローバル売上は拡大、予想通りの推移（主に米国、欧州で売上拡大）
- ✓ 2021年4月に発売となった中国でも売上貢献開始

PADCEV

42億円

前同：+12億円(+42%)

通期予想進捗率：21%

- ✓ 米国での売上拡大は予想通りの推移
- ✓ 2021年7月に米国で適応追加、今後更なる成長を見込む

エベレンゾ

6億円

前同：+5億円(+283%)

通期予想進捗率：7%

- ✓ 日本において、主要施設への採用は増加
予想通り売上も着実に拡大

ミラベグロン

440億円

前同：+36億円(+9%)

通期予想進捗率：25%

- ✓ グローバル売上は拡大、予想通りの推移
- ✓ 保険償還が開始された中国では物量が増加

2021年度第1四半期業績：費用項目

販管費は若干予想を上回る進捗だが、通期ではコントロール可能な範囲
研究開発費は予想通りに使用

コアベース：主要な費用項目の前同比較と予想進捗

売上原価率
前同：0.4ppt低下



- ✓ 主に製品構成の変化により低下

販管費
前同：13.5%増加
予想進捗率：25.3%



- ✓ 米国XTANDI共同販促費用を除く販管費は134億円増加(+15.0%)
- ✓ 為替の影響(+44億円)に加え、前年度1QはCOVID-19の影響により販促費用や旅費が減少していたことも一過性の増加要因(約+60億円)
- ✓ 経営計画2021の推進に向けた先行投資(約+30億円)

研究開発費
前同：1.8%増加
予想進捗率：24.1%



- ✓ ゾルベツキシマブやPrimary Focusへの投資は増加
- ✓ fezolinetantの開発費用が減少

2021年度 通期業績予想の修正

- コアベースの通期業績予想は変更なし
- フルベースの利益を下方修正
 - ✓ 開発プロジェクトの中止に伴い、無形資産の減損を1Qに計上
(ASP0892: 215億円、bleselumab: 41億円)
 - ✓ 早期退職優遇制度に伴う割増退職金費用(3Qに計上予定: 約100億円)

| (億円) | 期初予想 (2021年4月公表) | 修正予想 | 差異 |
|------|---------------------|-------|------|
| 営業利益 | 2,650 | 2,270 | -380 |
| 当期利益 | 2,090 | 1,830 | -260 |

本日の内容

10

I
2021年度第1四半期 連結業績
2021年度業績 修正予想

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*の進捗ハイライト

2021年度に期待される主なイベント

| 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 |
|---------|-----------------------|--|------------------------|
| 当局的判断 | 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 / PADCEV | 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 ^c) 治療歴のあるmUC(日本 ^d) | |
| | ロキサデュスタット / エベレンゾ | 慢性腎臓病に伴う貧血(欧州) | 2021年6月にCHMPが販売承認勧告を採択 |
| 申請 | ギルテリチニブ /ゾスパタ | 再発または難治性の急性骨髄性白血病(中国 ^e) | |
| 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) |

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: 迅速審査に指定、 d: 優先審査に指定、 e: 条件付き承認を完全承認に変更するためのsNDA

その他のアップデート(2021年4月の2020年度決算発表以降)

| プロジェクト/製品 | 適応症 | 最新状況 |
|-----------------------|------------|--|
| エンホルツマブ ベドチン / PADCEV | 筋層非浸潤性膀胱がん | 膀胱内注入療法の第Ⅰ相試験を2021年7-9月に開始予定 |
| fezolinetant | 閉経に伴うVMS | 日本の後期第Ⅱ相試験を2021年10-12月に開始予定 |
| AT132 | XLMTM | 2021年7月にASPIRO試験の投与を再開。低用量群に3例追加することを計画中(再開後の新たな投与は計6例となる予定) |



* ゾスパタ、PADCEV、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

mUC: 転移性尿路上皮がん、CHMP: 欧州医薬品委員会、sBLA: Supplemental Biologics License Application、sNDA: Supplemental New Drug Application、VMS: 血管運動神経症状、XLMTM: X連鎖性ミオチューブラーミオパチー

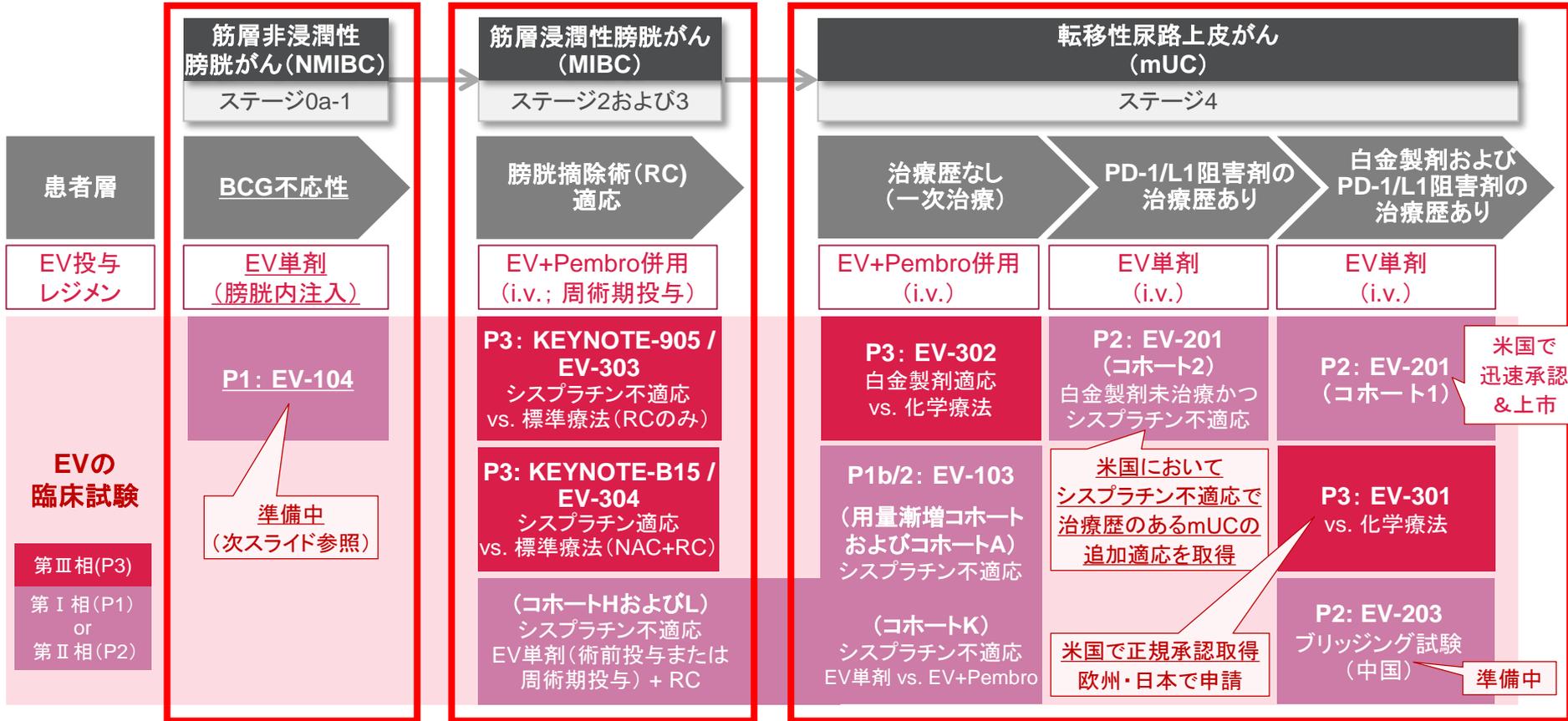
エンホルツマブ ベドチン(EV) (1/2): 尿路上皮がんの開発プログラム

強固な臨床試験データに基づき、転移性尿路上皮がんにおいて米国sBLA承認取得

早期

- 尿路上皮がんの病期 -

後期



米国で
迅速承認
& 上市

準備中

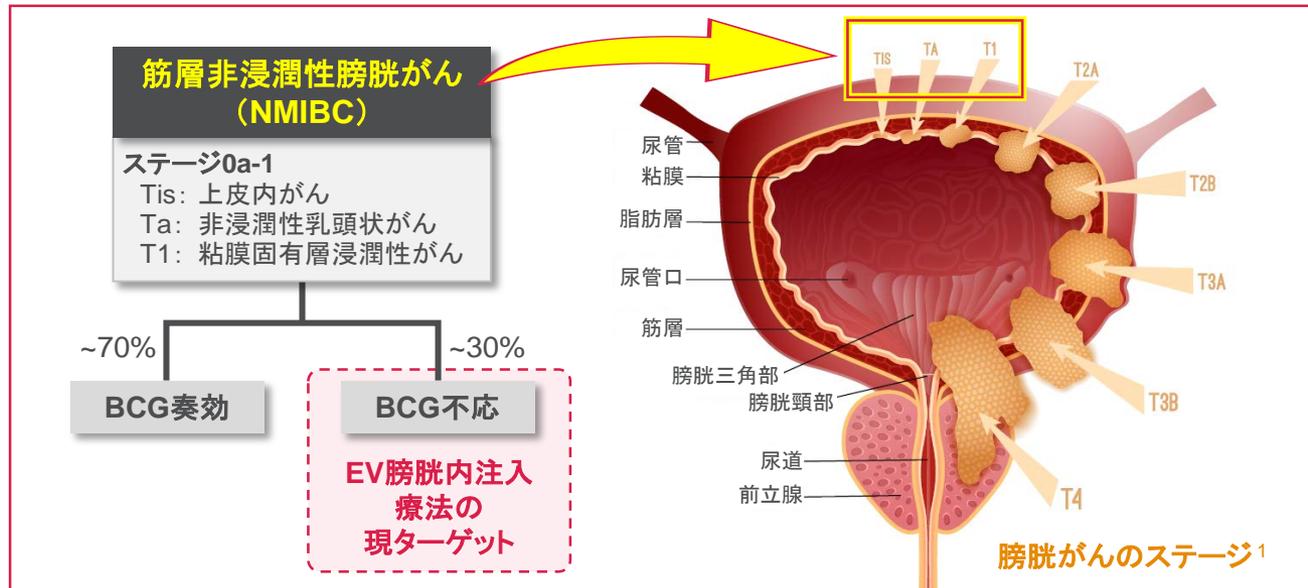


下線: 前回の決算発表時(2020年度決算発表; 2021年4月)からの進捗

sBLA: Supplemental Biologics License Application、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) (2/2): NMIBCにおける治療実態および開発プログラム

EVの膀胱内注入を、より早期ステージの尿路上皮がんで検討



NMIBCの標準療法* およびアンメットメディカルニーズ

- 昔ながらの標準療法は、経尿道的膀胱腫瘍切除術(TURBT)後のBCG膀胱内注入療法であり、これにより約70%の患者で再発を抑制することができる
- しかし、約30%の患者はBCG療法に不応となり、再発や悪化が認められる。また、BCG療法不応性の患者に対する治療選択肢は限定的である

* 標準治療・承認されている薬剤は地域・国ごとに違う点もあるが、基本的な治療の流れは同じ



NMIBCを対象としたEVの臨床開発

- BCG不応性の高リスクNMIBC患者を対象に、EV膀胱内注入療法の第I相試験(EV-104)を2021年7-9月に開始予定



fezolinetant: 開発の進捗

SKYLIGHT 2試験の52週データを入手
日本ローカル開発を準備中

米国および欧州

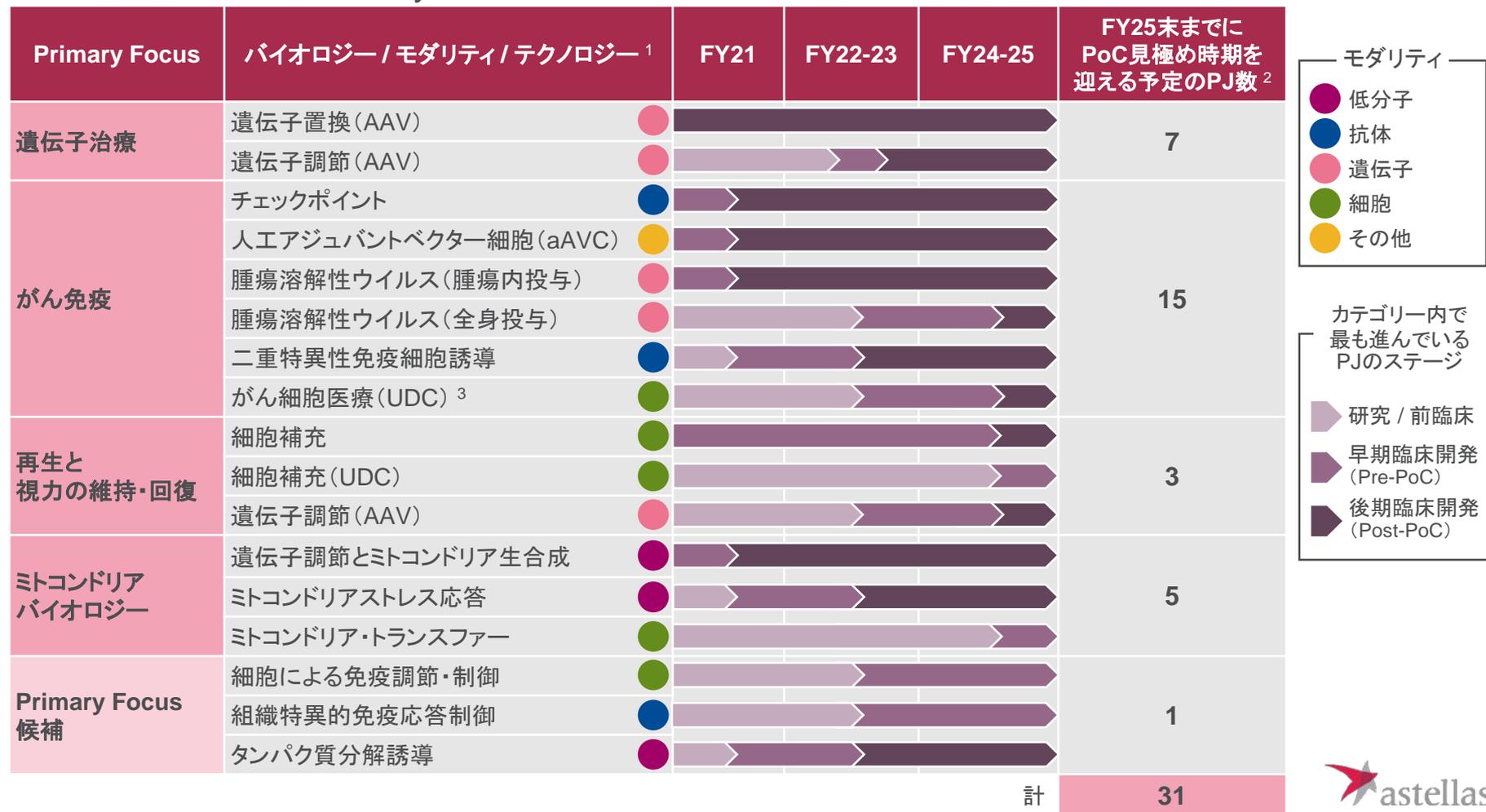
- 第Ⅲ相ピボタル試験 SKYLIGHT 2 :
 - ✓ 2021年7月に入手した52週データは fezolinetantの長期使用を支持
 - ✓ 2021年9月の北米閉経学会(NAMS)で12週データを中心に発表予定
- fezolinetantの安全性の総合的評価は、SKYLIGHT 1試験(ピボタル)およびSKYLIGHT 4試験(長期安全性)も含めた計3本の第Ⅲ相試験の52週データを基に、2021年度内に実施する予定
=> 2022年度の米国および欧州申請を目指す

日本

- 日本人患者を対象とした後期第Ⅱ相用量設定試験を2021年10-12月に開始予定

Focus Areaアプローチの進展(1/3): 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

2025年度末までに、Primary Focusのパイプラインから新たな後期開発品ポートフォリオを構築する



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(2021年5月時点)、
3. 最初のconvertibleCARプログラム(自家細胞を使用)のINDは2021年度後半の予定

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

Focus Areaアプローチの進展(2/3): Primary Focus現況

| 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 | モダリティ |
|---------------------|----------------------------------|----------------------|--|---|
| 遺伝子治療 | 遺伝子置換(AAV) | AT132 | (「XTANDIおよび重点戦略製品」スライドを参照) | ● 低分子 ● 抗体 ● 遺伝子 ● 細胞 ● その他 |
| | 遺伝子調節(AAV) | AT845 | 第 I 相試験進行中 | |
| がん免疫 | チェックポイント | ASP1948 | 第 I 相試験進行中 | |
| | | ASP1951 | 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 I 相試験進行中 進行性固形がん対象第 I 相試験を2021年7-9月に開始予定 | |
| | | ASP0739 | 第 I 相試験を2021年7-9月に開始予定 | |
| | 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 | | | |
| | がん細胞医療(UDC) | | | |
| (その他) | ASP1570 | 第 I 相試験を2021年後半に開始予定 | | |
| 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 | 前期第 II 相試験進行中 | |
| | | ASP0367 | PMM患者対象第 II/III相試験のFSFTを2021年6月に達成 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 | | | |
| | ミトコンドリア・トランスファー | | Minovia Therapeutics社とのライセンス契約を2021年7月に締結 | |
| 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 | | | |
| | タンパク質分解誘導 | | | |

下線: 前回の決算発表時(2020年度決算発表; 2021年4月)からの進捗、 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、AML: 急性骨髄性白血病、MDS: 骨髄異形成症候群、FSFT: 最初の症例への投与、

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

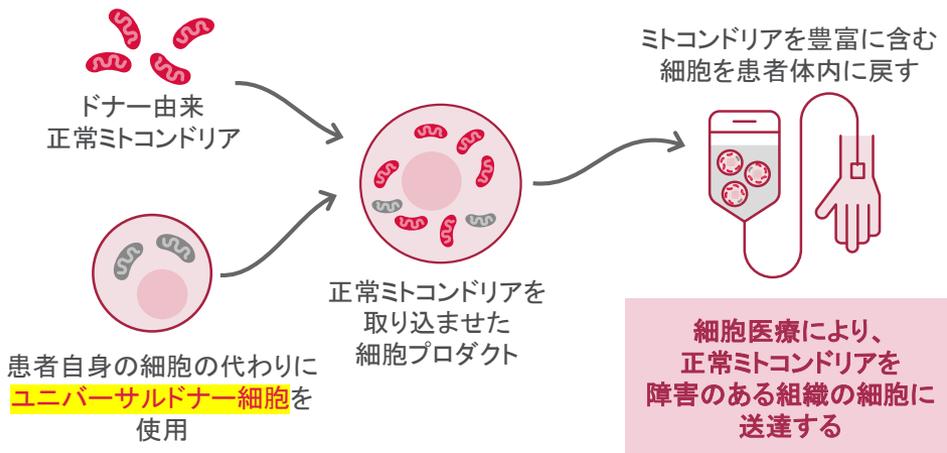
Focus Areaアプローチの進展(3/3): ミトコンドリアバイオロジー

ミトコンドリア細胞医療(ミトコンドリアトランスファー*)の分野をリードする Minovia Therapeutics社と戦略的提携

* 正常ミトコンドリアを、ドナー細胞から減弱した細胞に送達する機能

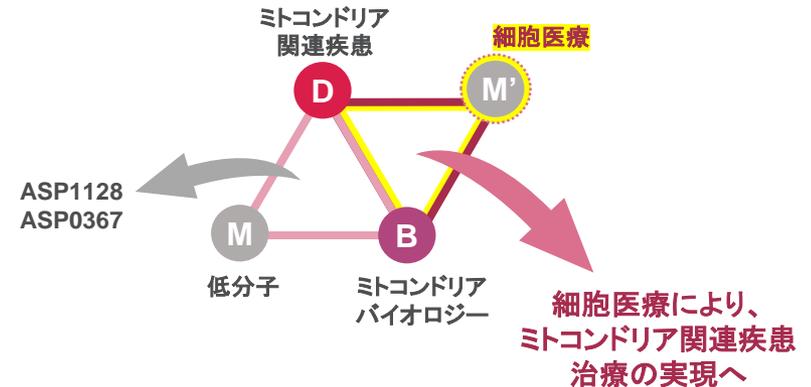
Minovia社のMATプラットフォーム

- 患者から取り出した細胞に対して、健康なドナーから分離・濃縮した正常ミトコンドリアを取り込ませ、その患者自身の細胞を再度体内に戻すことにより、障害のある組織の細胞にミトコンドリアを送達する技術



ミトコンドリア細胞医療におけるシナジー

- Minovia社のMATプラットフォームと、アステラスの他家移植を可能にするユニバーサルドナー細胞技術を組み合わせることにより、革新的な細胞医療プログラムを創出する



肺炎球菌ワクチン ASP3772

18

第Ⅱ相試験の良好な結果を入手

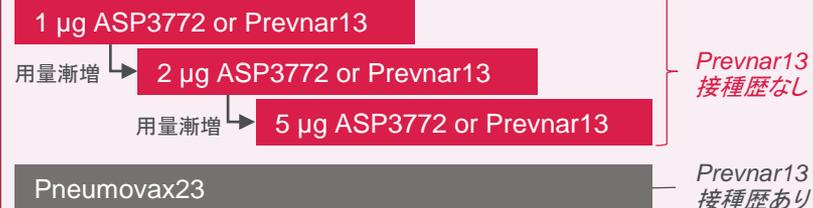
ASP3772の特徴

- ASP3772は、Affinivax社の多重抗原提示システム (MAPS) 技術により創製された24価の肺炎球菌ワクチンである
- ✓ MAPS技術により、一つのワクチンに複数の免疫誘導成分である肺炎球菌莢膜ポリサッカライドおよびタンパク質を組み込む
- ✓ 侵襲性感染症に対して、より広範囲の予防効果を発揮するとともに、上咽頭での病原菌のコロニー形成を抑制することが期待される

高齢者対象の第Ⅱ相試験

- 65-85歳の被験者を対象としたASP3772の第Ⅱ相試験結果は以下の通り:
 - ✓ 良好な忍容性が認められた
 - ✓ 対照のPevnar13およびPneumovax23いずれと比べても同等以上の免疫応答を示した

第Ⅱ相試験(第Ⅰ/Ⅱ相試験の第Ⅱ相パートに相当)



現在の状況

- 臨床開発:
 - ✓ 乳幼児(12-15カ月齢)対象の第Ⅰ相試験進行中
 - ✓ 成人対象の第Ⅲ相試験を予定
- 50歳以上の成人における肺炎球菌感染症予防の適応において、FDAからブレイクスルーセラピー指定を取得
- 戦略的オプションを検討中



Rx+プログラムの進展



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 |
|------------------------|------------|------------------------|---------|
| 慢性疾患の重症化予防 | Fit-eNce | 自宅で実施可能なサービスのパイロット販売開始 | |
| | 運動支援ゲームアプリ | パイロット販売開始 | |
| | BlueStar | 臨床試験開始(日本) | |
| | 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 | ASP5354 | 第II相試験のトップライン結果入手 | |

上記以外の進捗

| スフィア * | プログラム | イベント | 達成 |
|------------------------|---------|-----------|---------|
| 手術・診断精度向上による患者アウトカム最大化 | ASP5354 | 日本第I相試験開始 | 2021年6月 |

サステナビリティ：気候変動対策



環境行動計画の進捗として、温室効果ガス(GHG)排出削減に向けた取り組みが進展

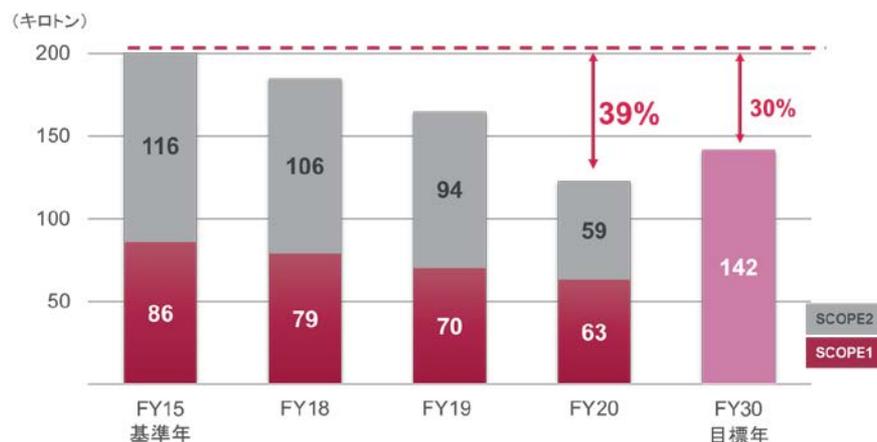
環境行動計画 <SBT認証済み>

- GHG排出量(スコープ1+2)を2030年度までに30%削減 (基準年:2015年度)
- GHG排出量(スコープ3)を売上収益比で2030年度までに20%削減 (基準年:2015年度)

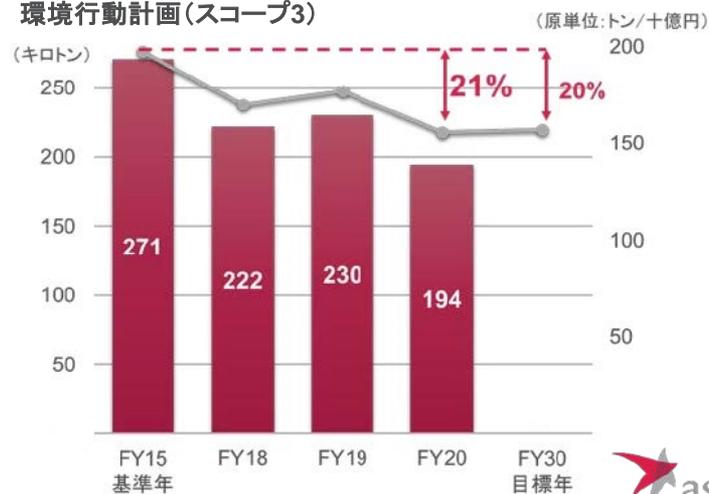
進捗状況 (2020年度実績)

- 再生可能エネルギー由来電力の活用に加えて、COVID-19感染対策などの外的要因が重なり、2015年度比でGHG排出量を39%削減(スコープ1+2)

環境行動計画(スコープ1+2)



環境行動計画(スコープ3)



SBT: Science Based Targets

スコープ1: 燃料の燃焼により、事業所から直接排出されるGHG排出、スコープ2: 他者から供給された電気や熱の使用に伴うGHG排出

スコープ3: 企業が間接的に排出するバリューチェーンでのGHG排出

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

コア営業利益

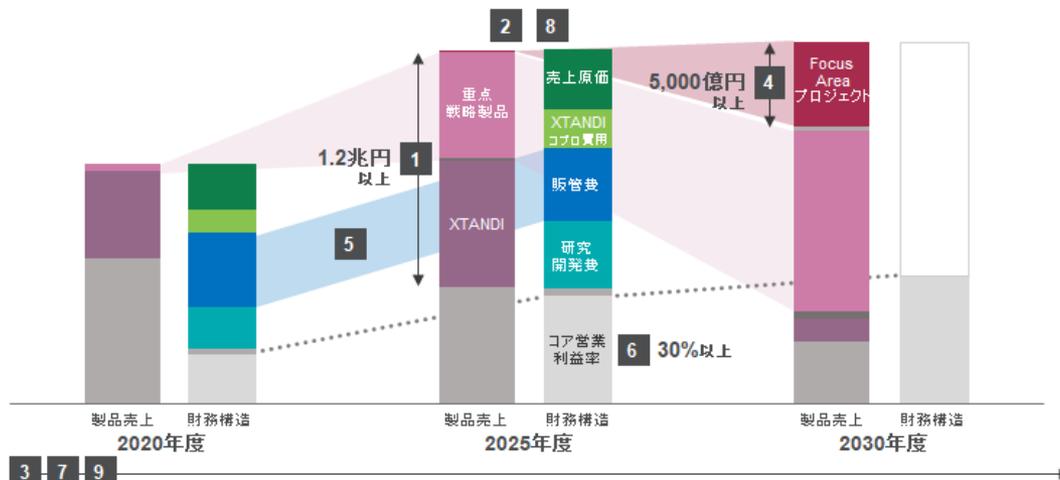
- 1** XTANDIおよび重点戦略製品*: 2025年度に1.2兆円以上
 - ✓ 順調な売上拡大
 - ✓ XTANDI: M1 CSPC承認取得(欧州)
 - ✓ PADCEV: cis不適応mUC 2L承認取得(米国)
 - ✓ fezolinetant: SKYLIGHT 2試験52週データ入手

- 2** Primary Focusから後期開発品を創出
 - ✓ AT132: 臨床試験投与再開
- 3** 重要技術基盤の活用・発展
 - ✓ ASP0367: 第II/III相試験FSFT
- 4** Focus Area プロジェクト: 2030年度に5,000億円以上
 - ✓ Minovia社提携

- 5** 販管費は絶対額で維持
 - ✓ 効果・効率性を高める施策 (アステラス オンラインMR、Cheplapharm社製品譲渡)
- 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

将来成長

- 8** Rx+: 2025年度までにBreakeven
 - ✓ マイホルターII事業化
- 9** サステナビリティ
 - ✓ GHG排出削減に向けた取り組みが進展



* ゾスパタ、PADCEV、ゾルベツキシマブ、エベレンゾ、fezolinetant、AT132

M1 CSPC: 転移性去勢感受性前立腺がん、cis: シスプラチン、mUC: 転移性尿路上皮がん、2L: 二次治療、FSFT: 最初の症例への投与、GHG: 温室効果ガス

參考資料



2021年度1Q実績：地域別売上収益

| (億円) | 20年度1Q | 21年度1Q | 増減率 |
|----------------|--------|--------|--------|
| 日本 | 778 | 675 | -13.2% |
| 米国 | 1,172 | 1,336 | +14.1% |
| エスタブリッシュドマーケット | 640 | 780 | +21.8% |
| グレーターチャイナ | 142 | 164 | +15.5% |
| インターナショナルマーケット | 302 | 278 | -8.1% |

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1Q実績：主要製品の売上

| (億円) | 20年度 1Q | 21年度 1Q | 増減率 | 為替の影響を 除いた増減率 | 21年度 予想 |
|--------|------------|------------|---------|------------------|------------|
| XTANDI | 1,120 | 1,329 | +18.7% | +13.3% | 5,572 |
| ゾスパタ | 56 | 83 | +47.7% | +41.7% | 367 |
| PADCEV | 30 | 42 | +41.9% | +39.5% | 201 |
| エベレンゾ | 2 | 6 | +282.9% | - | 86 |
| ミラベグロン | 404 | 440 | +8.8% | +5.4% | 1,752 |
| プログラフ | 453 | 452 | -0.3% | -6.7% | 1,926 |

PADCEV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/ベツミガ)
 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年度第1四半期業績： 主要製品のビジネスアップデート

25

XTANDI

グローバル売上は予想通りの推移、今後も継続成長を見込む。米国は物量で前同10%以上増加。欧州では2021年4月にM1 CSPCの適応追加。同年6月には英国NICEからM1 CSPCの治療薬としてXTANDIの使用が推奨。同年3月に保険償還が開始された中国では物量が想定を上回り増加

ゾスパタ

米国、欧州において売上が拡大、グローバル売上は予想通りの推移。2021年4月に発売となった中国での立ち上がりは順調に推移(1Q実績:5億円)。欧州では、英国、ドイツ、イタリアに加え、北欧、オランダ、ベルギーでも保険償還開始

PADCEV

米国での売上は順調に拡大、予想通りの推移。2021年7月に米国において適応追加(シスプラチン不適応で治療歴のある局所進行性または転移性尿路上皮がん)、今後更なる成長を見込む

エベレンゾ

日本の売上は予想通りの推移。2020年11月の適応追加に加え、同年12月に2週間の投薬期間制限が解除されたことで、主要施設への採用が進んでおり、売上も着実に拡大。現在、HIF-PH阻害薬内において処方箋シェアトップ

ミラベグロン

グローバル売上は予想通りの推移。2021年3月に保険償還が開始された中国では物量が増加。米国において小児における神経因性排尿筋過活動の適応取得(2021年3月)、新剤型である懸濁液用顆粒(経口徐放性製剤)を2Qに発売予定



為替レート(実績)

期中平均レート

| 通貨 | 20年度1Q | 21年度1Q | 変動 |
|-----|--------|--------|------|
| ドル | 108円 | 109円 | 2円安 |
| ユーロ | 118円 | 132円 | 13円安 |

期首 - 期末レートの変動

| 通貨 | 20年度1Q | 21年度1Q |
|-----|--------|--------|
| ドル | 1円高 | 0円高 |
| ユーロ | 2円安 | 2円安 |

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 136億円の増加、コア営業利益: 61億円の増加
- 未実現利益消去に係る為替の影響: 売上原価率 +0.1 ppt

2021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 | 2020年度 | 2021年度予想 | 変動 |
|-----|--------|----------|-----|
| ドル | 106円 | 110円 | 4円安 |
| ユーロ | 124円 | 130円 | 6円安 |

期首 - 期末レートの変動

| 通貨 | 2020年度 | 2021年度予想 |
|-----|--------|----------|
| ドル | 2円安 | 1円高 |
| ユーロ | 10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63億円減少 | 約13億円減少 | 約6億円増加 |
| ユーロ | 約29億円減少 | 約14億円減少 | 約3億円増加 |

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) | 21年3月末 | 21年6月末 |
|-----------------|--------|--------|
| 総資産 | 22,736 | 22,495 |
| 現金及び現金同等物 | 3,261 | 3,019 |
| 親会社所有者帰属持分 | 13,861 | 13,829 |
| 親会社所有者帰属持分比率(%) | 61.0% | 61.5% |

| (億円) | 20年度1Q | 21年度1Q | 20年度 |
|---------------|--------|--------|--------|
| 営業CF | 216 | 401 | 3,068 |
| 投資CF | -283 | -211 | -819 |
| フリーCF | -67 | 190 | 2,249 |
| 財務CF | -730 | -447 | -2,295 |
| 社債及び短期借入金の増減額 | -1,100 | - | -2,060 |
| 長期借入れによる収入 | 800 | - | 800 |
| 配当金支払額 | -372 | -389 | -762 |

社債及び借入金残高: 2,000億円(前期末から変更なし)

キャピタルアロケーション

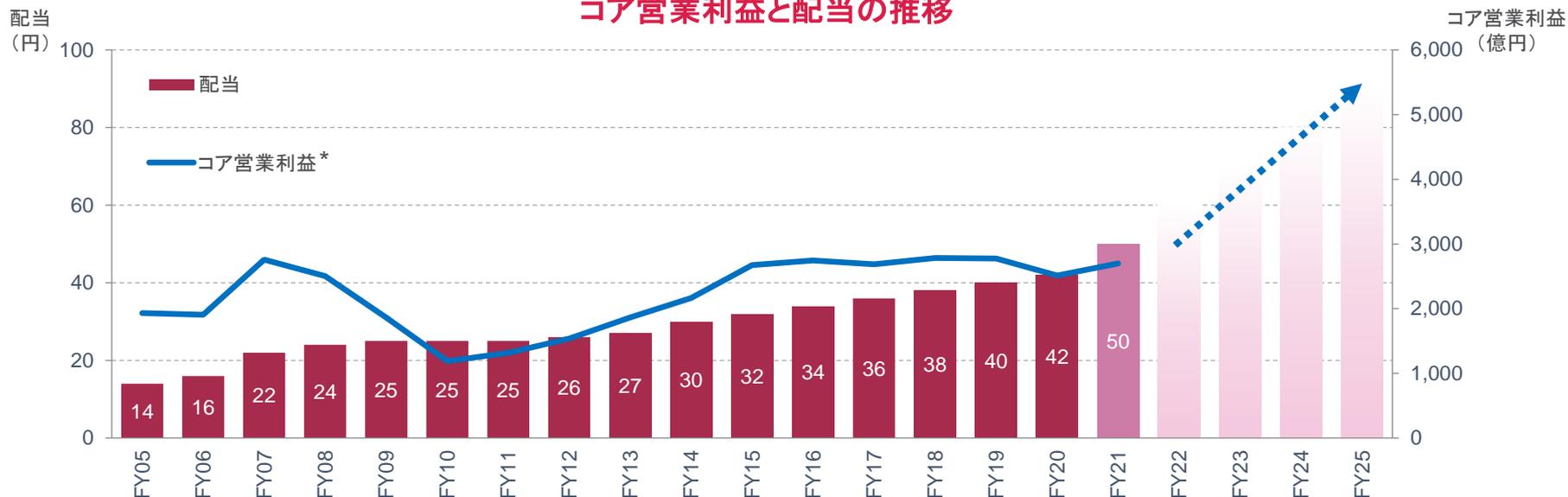
① 成長を実現するための
事業投資を最優先

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

30

第Ⅰ相

エンホルツマブ ベドチン
(NMIBC)

ASP1948

ASP1951

ASP9801

ASP7517

ASP0739

ASP7317

ASP0367
(デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

AT845

ASP0598

ASP2390

ASP1570

ASP8062
(アルコール使用障害)

ASP1617

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
(隣臓腺がん)

ロキサデュスタット
(化学療法に伴う貧血)

resamirigene bilparvovec
/AT132 (XLMTM)

ASP1128
(急性腎障害)

ASP0367
(原発性ミトコンドリアミオパチー)

ASP3772
(肺炎球菌感染症の予防)

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)

申請

エンホルツマブ ベドチン
(治療歴のあるmUC: 欧州・日本)

ロキサデュスタット
(慢性腎臓病に伴う貧血: 欧州)

■ XTANDIおよび重点戦略製品
(ゾスパタ、PADCEV、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

これらの化合物は開発中であり、まだ安全性と有効性確立していない。規制当局から承認を取得したり、開発中に市販されるという保証はない



NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん、XLMTM: X連鎖性ミオチューブラーミオパチー、M0: 非転移性、M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、AML: 急性骨髄性白血病、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: 2020年度決算発表(2021年4月)以降の進捗

31

第 I 相入り

第 II 相入り

第 III 相入り

申請

承認

エンホルツマブ ベドチン
筋層非浸潤性膀胱がん

ASP1570
がん

エンザルタミド
転移性ホルモン感受性
前立腺がん:
欧州

エンホルツマブ ベドチン
シスプラチン不適合で
治療歴のある局所進行性
または転移性尿路上皮がん:
米国

タクロリムス
成人および小児の肺移植に
おける拒絶反応の抑制:
米国

開発中止

bleseelumab: 生体腎移植患者における再発性巣状糸球体硬化症(第 II 相)

ASP0892: ピーナッツアレルギー(第 I 相)

注) 開発段階の進展の定義

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

(下線: 2021年4月の2020年度決算発表以降の更新)

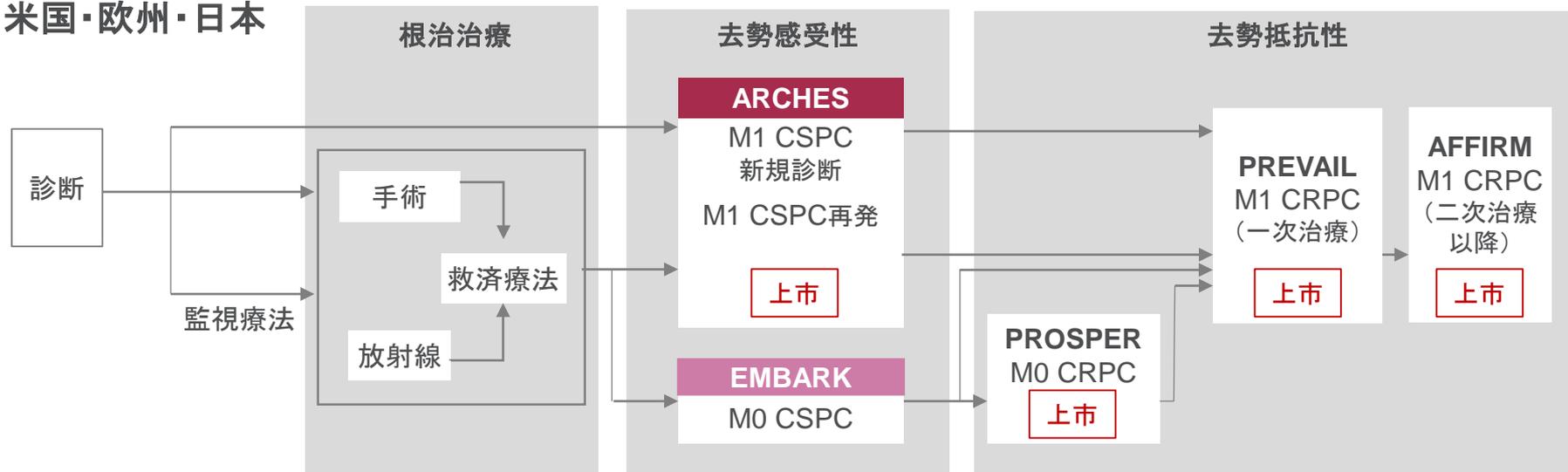
| | 適応症 | 現況 |
|---|--------------------|---|
| エンザルタミド / XTANDI | M1 CSPC | <ul style="list-style-type: none"> 欧州: 2021年4月に欧州で承認取得 中国: 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了) |
| | M0 CSPC | <ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了) |
| ギルテリチニブ / ゾスパタ | 再発または難治性 AML | <ul style="list-style-type: none"> 中国: 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 |
| エンホルツマブ ベドチン / PADCEV | 転移性尿路上皮がん | <ul style="list-style-type: none"> 治療歴あり: 2021年7月に米国で2つのsBLA承認取得。2021年3月に欧州および日本で申請 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を2021年7-9月に開始予定 |
| | 筋層浸潤性膀胱がん | <ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中(シスプラチン適応患者対象第Ⅲ相試験のFSFTを2021年5月に達成) |
| | 筋層非浸潤性膀胱がん | <ul style="list-style-type: none"> 膀胱内注入療法の第Ⅰ相試験を2021年7-9月に開始予定 |
| | 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 |
| | 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 | 慢性腎臓病に伴う貧血 | <ul style="list-style-type: none"> 欧州: 2021年6月にCHMPが販売承認勧告を採択 |
| | 化学療法に伴う貧血 | <ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中(症例組み入れ終了) |
| 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相試験進行中(全3試験で症例組み入れ終了)。2本の第Ⅲ相ピボタル試験(SKYLIGHT 1および2)の12週二重盲検期間トップライン結果において主要評価項目を達成。2021年7月にSKYLIGHT 2試験の52週データを入手。 アジア: 第Ⅲ相試験進行中(長期安全性試験で症例組み入れ終了) 日本: 後期第Ⅱ相試験を2021年10-12月に開始予定 |
| 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"> 2021年7月にASPIRO試験の投与を再開 低用量群に3例追加することを計画中(再開後の新たな投与は計6例となる予定) |

* ゾスパタ、PADCEV、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、AML: 急性骨髄性白血病、sBLA: Supplemental Biologics License Application、FSFT: 最初の症例への投与、CHMP: 欧州医薬品委員会

エンザルタミド：アンドロゲン受容体阻害剤(1/2)

米国・欧州・日本



| | | | | |
|----------------|---------|--------------|---------|--|
| 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 |
| 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



下線: 前回の決算発表時(2020年度決算発表; 2021年4月)からの進捗

M1: 転移性、M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、CRPC: 去勢抵抗性前立腺がん、ADT: アンドロゲン除去療法

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

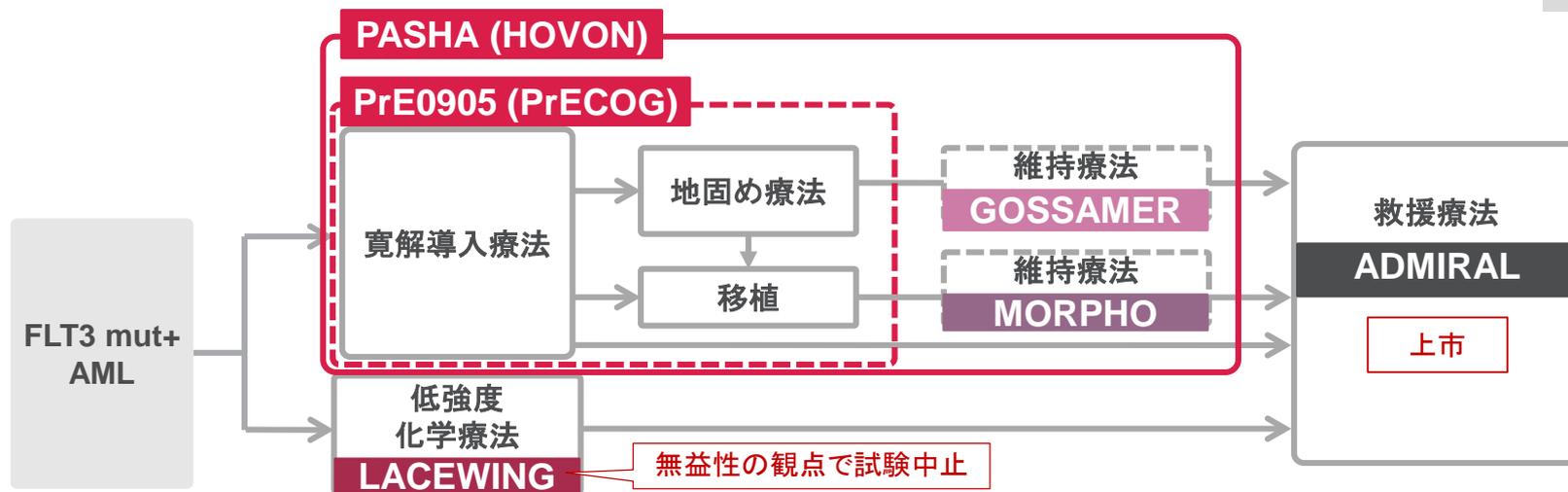
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

| 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) | (未達) | ✓ HR 0.67 | ✓ HR 0.73 | ✓ HR 0.77 | ✓ HR 0.63 |
| 投与期間 (DoT) | (試験進行中) | (未達) | ✓ 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



| | | | | |
|------------------|-----------------------|--------------------------------------|-------|------------------------------------|
| 再発または難治性 | 第Ⅲ相: ADMIRAL | 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) | 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) |
| 未治療 (強力な化学療法不適応) | 第Ⅲ相: LACEWING | アザシチジン併用療法とアザシチジン単独療法の比較 (2:1) | n=146 | 中間解析の結果、無益性の観点で新規症例の組み入れを中止 |
| 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 | 症例組み入れ終了 |

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):ネクチン-4を標的とするADC(1/2) 臨床試験

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sBLA承認取得(正規承認への変更) 2021年3月に欧州・日本で申請 |
| 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=760 | 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sBLA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およびLで症例組み入れ中 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 | 2021年7-9月開始予定(IND承認) |
| 第Ⅰ相: EV-104 | BCG不応性の高リスクNMIBC; EV単剤を膀胱内注入 | | 2021年7-9月開始予定 |

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、胃がん・胃食道接合部がんまたは食道がん; EV単剤 | n=240 | FSFT: 2020年3月 |
|----------------|--|-------|---------------|



下線: 前回の決算発表時(2020年度決算発表; 2021年4月)からの進捗

ADC: 抗体-薬物複合体、mUC: 転移性尿路上皮がん、sBLA: Supplemental Biologics License Application、Pembro: ペムブロリズマブ、FSFT: 最初の症例への投与、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、RC: 根治的膀胱摘除術、IND: 治験許可申請、BCG: カルメット・ゲラン桿菌、NMIBC: 筋層非浸潤性膀胱がん

エンホルツマブ ベドチン(EV) (2/2): 病期別臨床試験データ

| 病期 | 早期 | | 転移性尿路上皮がん | | | | | | 後期 |
|------------------|---------------------|---------------------|----------------|--------------------|--------------------------------|--------------------------------|--------------------------|-------------------------------------|----|
| | 筋層浸潤性膀胱がん | | 治療歴なし(一次治療) | | | PD-1/L1阻害剤の治療歴あり | | | |
| | 手術適応 | | 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) | 760 (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、黄: 最近開示された結果



ゾルベツキシマブ：抗Claudin 18.2モノクローナル抗体

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、プラセボ対照 | n=550 | FSFT： 2018年10月 |
| | 第Ⅲ相： GLOW | 一次治療、CAPOXとの併用、プラセボ対照 | n=500 | FSFT： 2019年1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 | <u>n=116</u> | FSFT： 2018年9月 |
| 膵臓腺がん | 第Ⅱ相 | nab-パクリタキセルとゲムシタビンとの併用、プラセボ対照 | n=141 | FSFT： 2019年5月 |

fezolinetant: NK3受容体拮抗剤

血管運動神経症状(VMS)は QoL(生活の質)に大きな影響を及ぼす

- 身体症状として、ほてりや寝汗などがあり、睡眠に影響を与える可能性がある
- 身体症状が恥ずかしさ、いらだち、不安、悲しみといった精神症状につながる可能性がある
- 日常生活の様々な場面でネガティブに影響する¹

Women's Health Initiative(WHI)の臨床研究²

- 初期のデータ分析では、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と同等の有効性を有し、重大な安全性の懸念がない、HRTの代替薬となるようなものはなく、顕著なアンメットメディカルニーズが生じている

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) |
| 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) 2021年7月に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=1,833 | 症例組み入れ終了 |

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=300 | FSFT: 2020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 • 日本人患者を対象とした後期第Ⅱ相用量設定試験を2021年10-12月に開始予定

下線: 前回の決算発表時(2020年度決算発表; 2021年4月)からの進捗

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. FSFT: 最初の症例への投与

AT132 (RESAMIRIGENE BILPARVOVEC): rAAV8-Des-hMTM1

40

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

2021年7月に低用量(1.3 x 10¹⁴ vg/kg)で投与再開
低用量群に3例追加することを計画中
(再開後の新たな投与は計6例となる予定)



変化する医療の最先端へ

