

2022年度決算概況

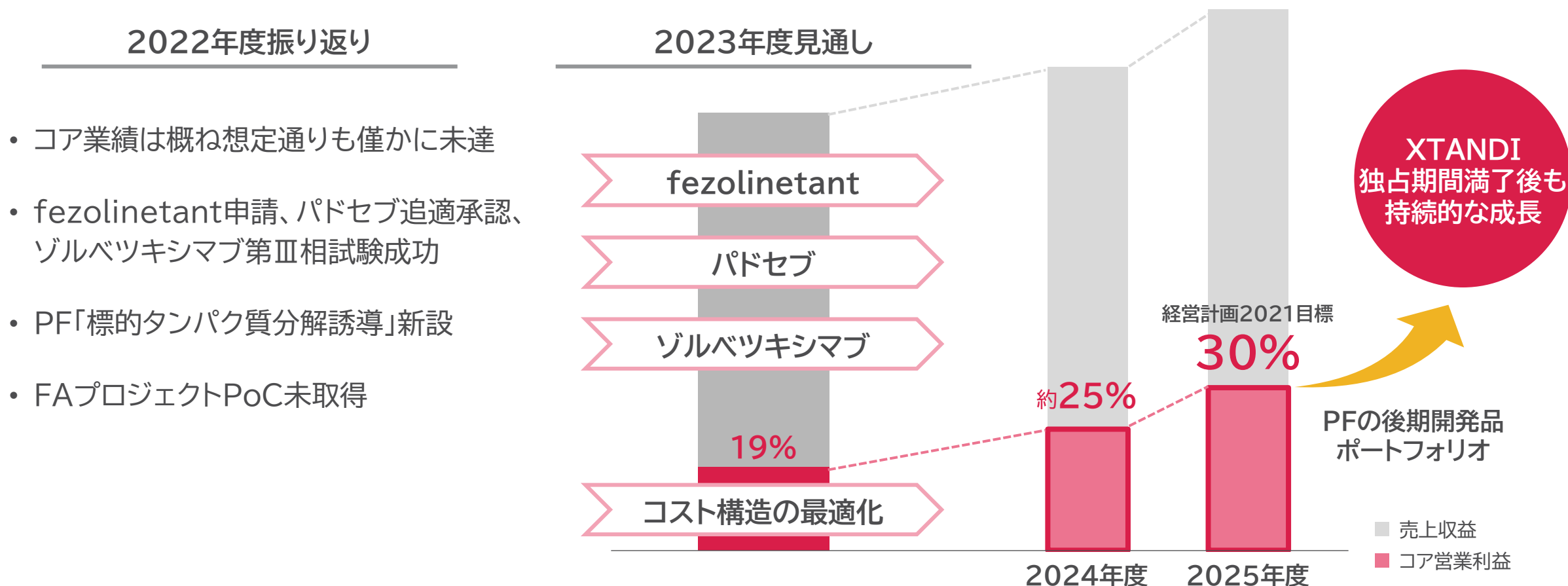


2023年4月27日
アステラス製薬株式会社
代表取締役社長CEO
岡村 直樹

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。

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



本日の内容

I 2022年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2023年度 連結業績予想と期待される主なイベント

2022年度業績の概要

売上収益は前期比較で17%増加。概ね想定通りも僅かに未達
XTANDI、パドセブ、ゾスパタは通期予想に沿って拡大

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使用。為替の影響を除くと前期比較で減少
- 研究開発費は通期予想に沿って使用

営業利益

- コア営業利益は前期比較で17%増加。概ね想定通りも僅かに未達

2022年度業績


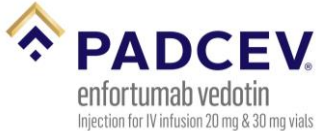


(億円)	2021年度	2022年度	増減額	増減率	2022年度 通期予想 ¹	達成率	為替の影響(前期比較)
売上収益	12,962	15,186	+2,225	+17.2%	15,290	99.3%	+1,644億円 +133億円(2021年度4Q に残る未実現利益消去の影 響+78億円を含む)
売上原価	2,530	2,884	+353	+14.0%			
売上収益比率	19.5%	19.0%	-0.5 ppt				
販管費	5,488	6,303	+814	+14.8%	6,420	98.2%	+803億円
内、米国XTANDI共同販促費用	1,393	1,755	+362	+26.0%	1,860	94.3%	
上記を除く販管費	4,095	4,548	+453	+11.1%	4,560	99.7%	+504億円
研究開発費	2,460	2,761	+301	+12.2%	2,780	99.3%	+275億円
無形資産償却費	283	384	+102	+35.9%			
無形資産譲渡益	242	2	-240	-99.1%			
コア営業利益	2,447	2,869	+422	+17.2%	2,900	98.9%	+401億円
							参考:その他の費用(4Q計上分)
<フルベース>							
その他の収益	153	36	-116	-76.1%			• 条件付対価に係る公正価値 増加(ゾルベツキシマブ) ² : 386億円
その他の費用	1,043	1,575	+532	+51.0%			• 減損損失:603億円(エブレ ンゾ:471億円、FX-322: 86億円、Adaptimmune社 契約解約:46億円)
営業利益	1,557	1,330	-227	-14.6%	1,370	97.1%	
税引前当期利益	1,569	1,324	-245	-15.6%	1,350	98.0%	
当期利益	1,241	987	-254	-20.4%	1,050	94.0%	

1. 2022年度通期予想:2022年10月公表。ただし、フルベースは2023年4月11日公表の修正予想

2. 当4Qに社内でのゾルベツキシマブの承認申請の意思決定に伴う計上

2022年度業績：主要製品

XTANDI、パドセブ、ゾスパタは通期予想に沿って拡大

	2022年度実績	前期比	通期予想*	達成率	
 Xtandi [®] (enzalutamide)	6,611億円	+1,268 (+24%) <small>為替の影響を除く</small> [+454 (+9%)]	6,700	99%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は通期予想に沿って拡大 ✓ 米国：PAP(無償提供)や競合後発品(安価)が引き続き高い水準、厳しい市場環境が継続 一方で、厳しい市場環境下でも、NHTブランド市場において全ての適応症でリーディングポジションを維持 ✓ 欧州：物量が大きく拡大し、上方修正した通期予想を達成
 PADCEV [®] enfortumab vedotin <small>Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials</small>	444億円	+227 (+104%) [+172 (+79%)]	454	98%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は大きく拡大、特に欧州と日本が貢献 ✓ 米国：実需が着実に成長するも、治験用製品の販売が想定を下回り、通期予想に対しては未達 ✓ 欧州：発売国は21カ国まで拡大し、7カ国にて保険償還を獲得
 XOSPATA [®] gilteritinib 40mg tablets	466億円	+125 (+37%) [+66 (+19%)]	458	102%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は通期予想を達成 ✓ 発売する全ての地域で通期予想通りに拡大 ✓ 米国、欧州および日本では高いマーケットシェアを獲得
 Evrenzo [®] roxadustat	32億円	+6 (+23%)	50	64%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 通期予想に対して大幅な未達 ✓ 日本：競合激化の影響でマーケットシェアが想定を下回る ✓ 欧州：4Qにイタリアで発売、保険償還も獲得

*2022年10月公表

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

2022年度業績：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使用。為替の影響を除くと前期比較で減少

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期比較と対売上収益比率・対予想

費用項目	対前期比	対売上収益比率	対通期予想 達成率	
売上原価	14.0%増加	19.0% (前期比-0.5ppt)	-	✓ 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	11.1%増加 (為替の影響を 除くと1.3%減少)	29.9% (前期比-1.6ppt)	99.7%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバルでのコマース要員最適化(前期比:約-80億円) ✓ 成熟製品の費用削減(同:約-80億円) ✓ 新製品の立ち上げ・発売準備費用の増加(同:約+120億円) ✓ 費用削減は想定通り進捗。必要な投資は積極的に実施 ✓ 結果、通期予想に沿った使用
研究開発費	12.2%増加 (為替の影響を 除くと1.1%増加)	18.2% (前期比-0.8ppt)	99.3%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 1Qにfezolinetantの申請時のPRVの使用に伴う一時費用(137億円)を計上 ✓ 上記費用を含めて、通期予想に沿った使用

本日の内容

I 2022年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2023年度 連結業績予想と
期待される主なイベント

XTANDIおよび重点戦略製品：2022年度の主なイベント

	1Q (4-6月)	2Q (7-9月)	3Q (10-12月)	4Q (1-3月)
エンザルタミド / XTANDI				★ EMBARK試験TLR ★ China ARCHES試験TLR 3月
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ		★ EV-103試験コホートK TLR (1L mUC、Cis不適応) 7月 ★ EV-203試験TLR(治療歴のあるmUC、中国) 8月 ★ EV-202試験初回TLR 7月	★ 申請受理(米国) 12月	★ 承認(米国) 4月 ★ 申請受理(中国) 3月
ゾルベツキシマブ	★ 6月		★ SPOTLIGHT試験TLR 11月 ★ GLOW試験TLR 12月	
fezolinetant		★ 申請受理(米国) 8月 ★ 申請受理(欧州) 9月		④ 審査終了目標日 (PDUFA date) 5月
AT132				★ FDAの臨床試験差し止め (clinical hold)への 回答提出 3月

<その他のアップデート>

- ゾルベツキシマブ：2023年4月にSPOTLIGHT試験の結果をLancet誌で発表
- fezolinetant：2023年3月にSKYLIGHT 1試験の結果をLancet誌で発表
2023年3月にSTARLIGHT(日本後期第Ⅱ相)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3月にMORPHO試験(造血幹細胞移植後の維持療法)のトップライン結果を入手

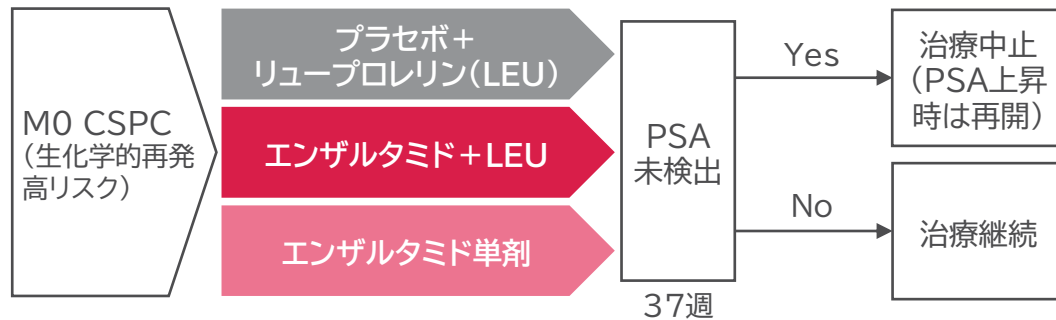
2023年4月時点

エンザルタミド/XTANDI: 最新状況

- EMBARK試験の良好なトップライン結果に基づき、米国と欧州で承認申請を目指す
- ピーク時売上予想を7,000億円以上に上方修正

EMBARK試験

試験デザイン



試験結果

- 主要評価項目(無転移生存期間:MFS)を達成(エンザルタミド+LEU vs. プラセボ+LEU)
- 主な副次評価項目である全生存期間(OS)は改善傾向、最終解析まで引き続き経過観察
- 他の主な副次評価項目を達成
 - MFS(エンザルタミド単剤 vs. プラセボ+LEU)
 - PSA増悪までの期間
 - 新しい抗腫瘍治療開始までの期間

今後の計画

- EMBARK試験データ発表:4月29日、米国泌尿器科学会(AUA)
- 承認申請:米国で2023年中頃、欧州で2023年度後半を目指す

売上予想アップデート

- これまでの売上状況、M0 CSPCの欧州での申請計画、および為替レートの推移を織り込んで売上予想をアップデート
- ピーク時売上予想:7,000億円以上*
 - M0 CSPCの売上貢献:400-500億円

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 ¹	プロジェクト	現況	FY25末までにPoC見極めを迎える予定のプロジェクト数 ²
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	2
		AT845	● FORTIS試験再開に向けた活動を2023年2月に開始 FORTIS試験の予備的データを2023年2月のWORLD Symposiumで発表	
	遺伝子調節(AAV)	●		
がん免疫	チェックポイント	ASP1570	● 第I相試験進行中	7
	人工アジュバントベクター細胞(aAVC)	ASP7517	● 開発中止	
		ASP0739	● 開発中止	
	腫瘍溶解性ウイルス(腫瘍内投与)	ASP9801	● 開発中止	
	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相試験のFSFTを2023年3月に達成	
		ASP1002	● 第I相試験のFSFTを2023年3月に達成	
がん細胞医療(UDC)	●			
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317	● 第I b相試験における症例スクリーニングを2022年8月に再開	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	● PMM患者対象第II/III相試験進行中 DMD患者対象第I b相試験をオペレーション上の理由により中止	3
	ミトコンドリアストレス応答	ASP8731	● 開発中止	
	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 FDAからファストトラック指定を2023年2月に取得(膵臓腺がん)	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 → 16

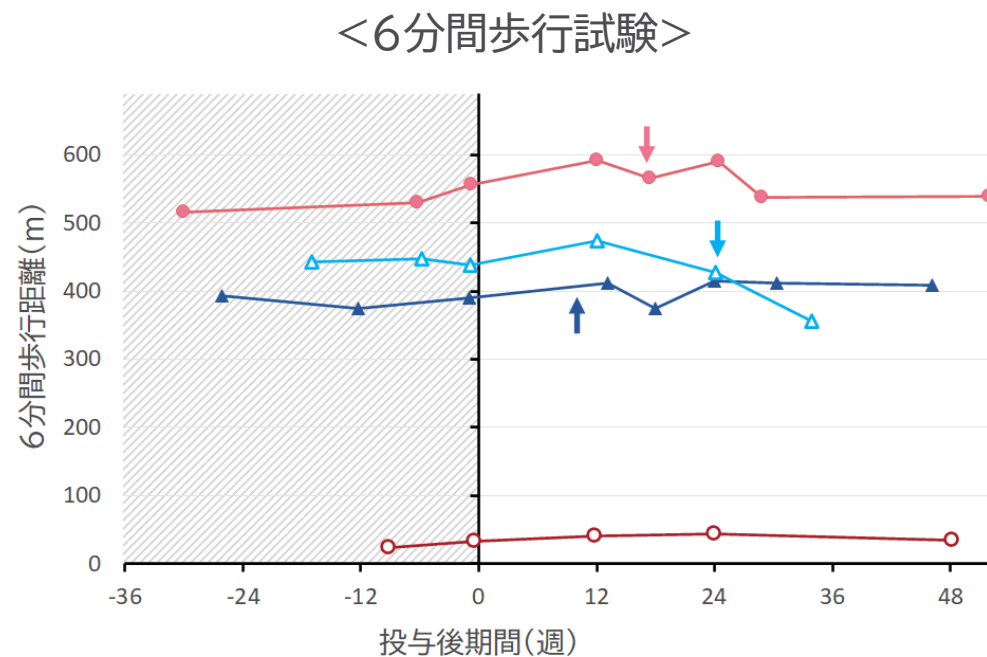
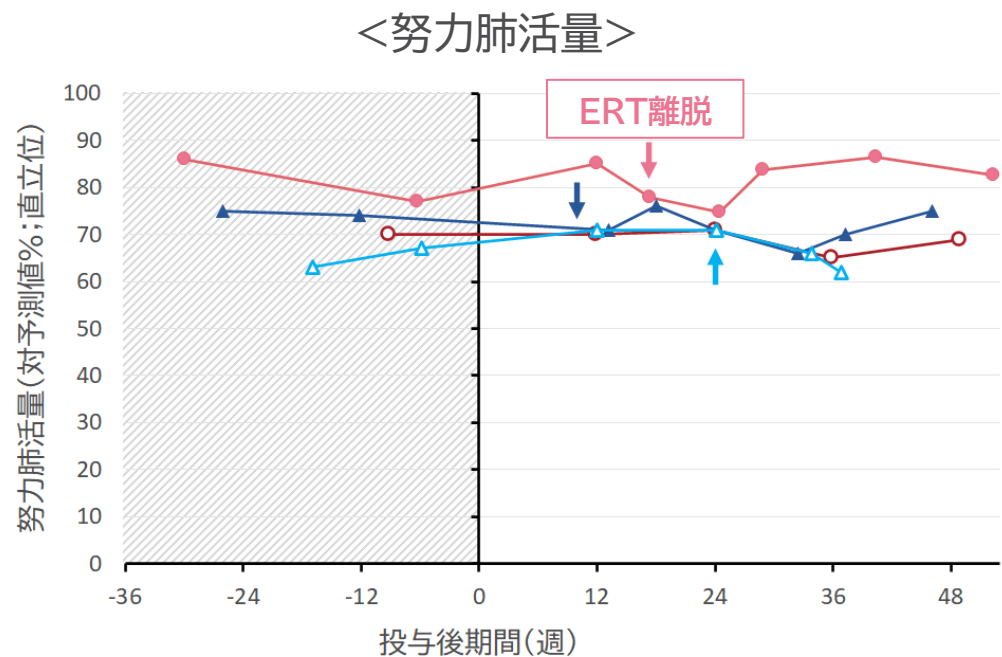
モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞
- その他

1. 全ては列挙していない、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4月時点);合計の値は2022年4月からの変化
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、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(2/2): AT845 FORTIS試験の予備的データ

- 被験者4名のうち3名は、AT845投与後に酵素補充療法(ERT)*から離脱¹
 - ERT離脱後も、測定された身体機能に関する指標は安定
- *ERT: ポンペ病に対する唯一の承認された治療法、2週に1回の点滴投与を継続的に実施



注: 被験者09(△)における最後の2つの評価時期は末梢性多発性ニューロパチー発現後

- FORTIS試験再開に向けた活動を2023年2月に開始、投与再開は2023年度2Qを見込む

Rx+プログラムの進展：2022年度まとめ

(赤字：前回の決算発表以降の進捗)



2022年度に期待される主なイベント(2022年4月発表)

カテゴリー	プログラム	イベント	進捗状況
デジタルヘルス その他サービス	EG Holter	パイロット販売開始	2022年6月：パイロット販売を開始
デジタルセラピュー ティクス	BlueStar	臨床試験開始(日本)	2023年1月：ロシュDCジャパンと提携、血糖自己測定器との組み合わせ医療機器として承認を目指す 2023年度に日本で臨床試験開始予定
医薬品/医療機器 コンビネーション	pudexacianinium chloride (ASP5354)	第Ⅲ相試験FSFT	2023年1月：外科手術時の可視化技術に強みを持つ医療機器メーカー、Stryker社と米国における独占的な商業化に関する提携を開始 2023年度に計画されている第Ⅲ相試験開始に向けた準備を実施

本日の内容

15

I 2022年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2023年度 連結業績予想と
期待される主なイベント

2023年度通期業績予想の概要




- 売上収益：前年同水準を予想
fezolinetantとパドセブの売上貢献により、レキスキャンの売上減少分をカバー
 - ✓ 販管費：前期比較で増加。主にfezolinetant、ゾルベツキシマブに対する投資拡大
 - ✓ コア営業利益率30%に向けたoperational excellenceの徹底追求
 - ✓ 研究開発費：前期比較で減少。Primary Focusへの投資を拡大させる一方、重点戦略製品の開発費用が減少
- 結果、コア営業利益は前年同水準を予想
- 2024年度以降の成長を見据え、一株当たり配当金は10円増配の70円を予想

2023年度通期業績予想

(億円)	2022年度 実績	2023年度 予想	増減率	2023年度 予想 (為替レート) ドル:130円 ユーロ:140円
売上収益	15,186	15,200	+0.1%	為替の影響:-408
販管費	6,303	6,610	+4.9%	
内、米国XTANDI共同販促費用	1,755	1,760	+0.3%	
上記を除く販管費	4,548	4,850	+6.6%	
研究開発費	2,761	2,510	-9.1%	
コア営業利益	2,869	2,900	+1.1%	為替の影響:-87
<フルベース>				
営業利益	1,330	2,880	+116.5%	
当期利益	987	2,270	+130.0%	

2023年度通期業績予想：主要製品

パドセブを中心に引き続き成長を見込む、fezolinetantの売上貢献にも期待

	2023年度予想	前期比	主な成長要因
 Xtandi® (enzalutamide)	6,699億円	+88 (+1%) 為替の影響を除く* 〔+307 (+5%)〕	<ul style="list-style-type: none">✓ 米国：現適応症での継続成長、M0 CSPCの承認取得を今年度中に見込む✓ 日本：M1 CSPCの成長を中心とした売上拡大✓ 中国：M0 CRPCの追加適応について、2023年3月に保険償還が開始
 PADCEV® enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials	667億円	+223 (+50%) 〔+235 (+54%)〕	<ul style="list-style-type: none">✓ 米国：mUC一次治療の追加適応による本格的な売上拡大✓ 欧州：保険償還を獲得する国の増加✓ 日本：現適応症での継続成長
 XOSPATA® gilteritinib 40mg tablets	493億円	+27 (+6%) 〔+43 (+10%)〕	<ul style="list-style-type: none">✓ 米国、欧州：市場の大きいマーケットでの継続成長✓ インターナショナルマーケット：発売国と保険償還を獲得する国の増加

- fezolinetant: 2023年度予想に織り込み済み(400-500億円)、詳細は承認後にガイダンス

2023年度通期業績予想：費用項目

2024年度以降の持続的な成長を図るため、限られたリソースを統制を取って配分

2024年度以降
将来成長加速、
コスト構造の最適化

主な増減要因(対前期比)

販管費(米国XTANDI共同販促費用除く)
4,850億円(前期比+302億円)
対売上収益比率31.9%

- fezolinetant、ゾルベツキシマブへの投資(約+500億円)
- 成熟製品の費用削減(約-80億円)

operational excellenceの徹底追求

研究開発費
2,510億円(前期比-251億円)
対売上収益比率16.5%

- Primary Focusでの増加(約+80億円)
- 前年度のPRV使用の反動(-137億円)
- 重点戦略製品の開発費用の減少(約-60億円)

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 (M0 CSPC、米国)	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 (米国、欧州)	申請 (日本、中国)		
fezolinetant	当局判断 (米国)		当局判断 (欧州)	

-  当局判断
-  申請
-  データ判明

2023年4月時点

*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
M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、M1:転移性、1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん

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	

*単剤・用量漸増
PoC: コンセプト検証

新R&Dオペレーティングモデル

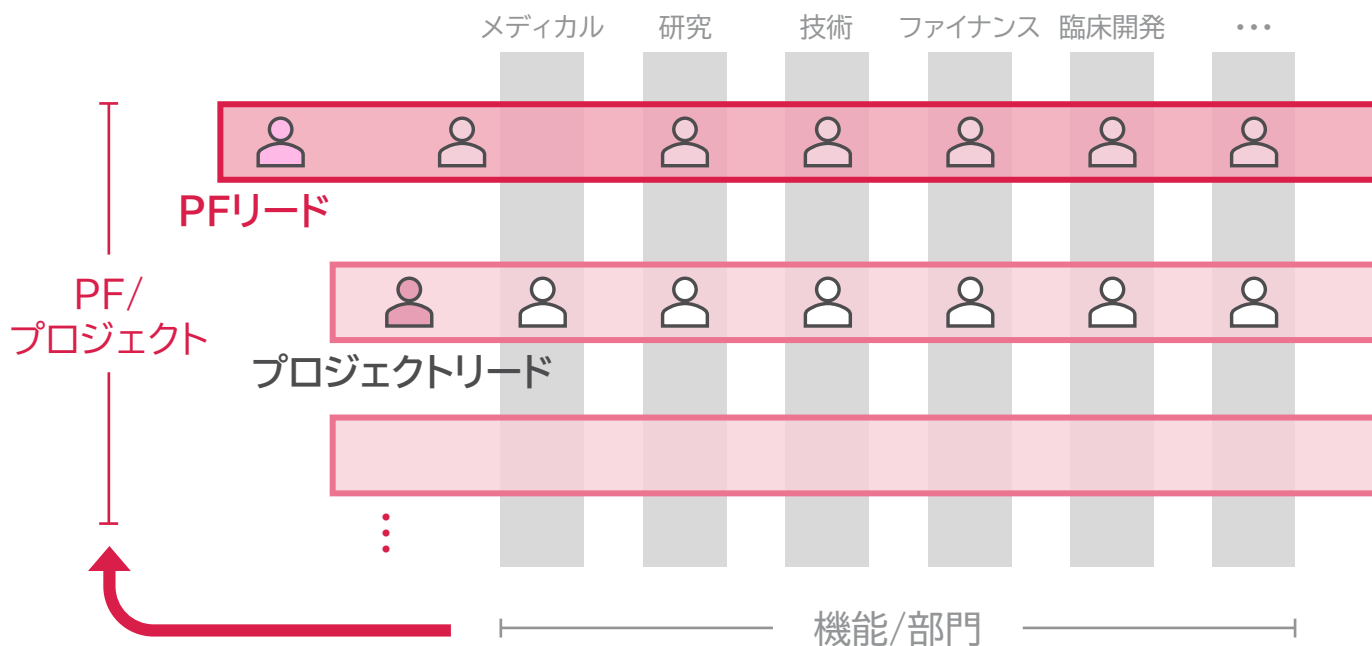
PoC取得を加速するために、プロジェクトのライフサイクル全体においてプロジェクト/Primary Focusへの権限委譲を拡大し、迅速な意思決定を可能にする

Kachi Committee

- Primary Focus(PF)/プロジェクト間の優先順位付け
- 重要な開発マイルストーンに絞った意思決定

議長: CXO

プロジェクトおよびPFへの権限委譲



PFリーダーシップチーム

- PF全体戦略の立案と遂行
- 部門に代わり**予算管理**

プロジェクトチーム

- 個別プロジェクトの戦略立案と遂行
- プロジェクトにおける**日常的な意思決定**

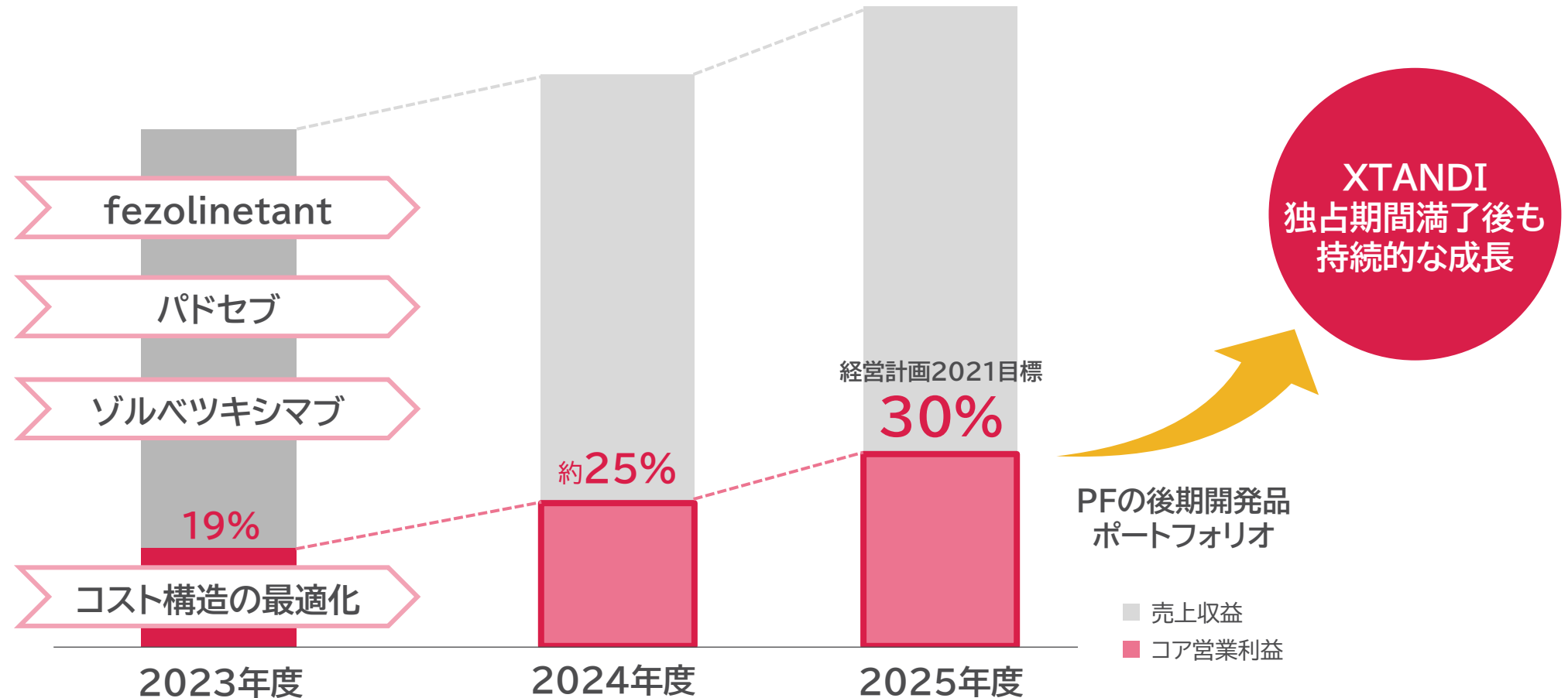


迅速な意思決定

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



fezolinetant Meeting

- 承認取得後、開催予定
(詳細は改めてご連絡)

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								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	22年度 4Q	21年度	22年度	前同比
売上収益	3,261	3,255	3,406	3,039	3,818	3,804	4,022	3,543	12,962	15,186	+17.2%
売上原価	610	632	666	545	761	755	744	623	2,452	2,884	+17.6%
売上収益比率	18.7%	19.4%	19.6%	17.9%	19.9%	19.9%	18.5%	17.6%	18.9%	19.0%	+0.0ppt
販管費	1,371	1,334	1,359	1,424	1,534	1,546	1,630	1,593	5,488	6,303	+14.8%
内、米国XTANDI共同販促費用	345	366	376	306	431	465	486	373	1,393	1,755	+26.0%
上記を除く販管費	1,026	968	983	1,118	1,103	1,080	1,144	1,220	4,095	4,548	+11.1%
研究開発費	583	607	586	684	740	652	669	701	2,460	2,761	+12.2%
無形資産償却費	60	64	79	80	107	92	92	93	283	384	+35.9%
無形資産譲渡益	-	-	241	1	2	0	0	0	242	2	-99.1%
コア営業利益	641	618	975	292	681	773	883	532	2,525	2,869	+13.6%
(参考) コア営業利益への影響額*1	+12	-7	+28	+45	+128*2	-128	-	-	+78	-	-

*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

2022年度業績：地域別売上収益

(億円)	2021年度	2022年度	増減率
日本	2,588	2,623	+1.4%
米国	5,375	6,524	+21.4%
エスタブリッシュドマーケット	3,065	3,584	+16.9%
グレーターチャイナ	663	800	+20.7%
インターナショナルマーケット	1,187	1,447	+21.9%

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年度業績：主要製品の売上

(億円)	2021年度	2022年度	増減率	為替の影響を 除いた増減率	2022年度 通期予想*
XTANDI	5,343	6,611	+23.7%	+8.5%	6,700
パドセブ	217	444	+104.4%	+79.2%	454
ゾスパタ	341	466	+36.7%	+19.3%	458
エベレンゾ	26	32	+23.0%	+20.8%	50
ミラベグロン	1,723	1,886	+9.5%	-3.4%	1,950
プログラフィ	1,854	1,988	+7.2%	-1.7%	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	2021年度	2022年度	変動
ドル	112円	135円	23円安
ユーロ	131円	141円	10円安

期首-期末レートの変動

通貨	2021年度	2022年度
ドル	11円安	11円安
ユーロ	5円安	9円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益: 1,644億円の増加、コア営業利益: 401億円の増加

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

2023年度通期業績予想：XTANDI（地域別）

	2023年度予想	前期比	主な成長要因
	6,699億円	+88 (+1%) 為替の影響を除く* 〔+307 (+5%)〕	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバルで為替の影響を除いた実ビジネスは引き続き成長を見込む ✓ 全ての地域で売上の拡大を見込む
米国（\$ベース）	\$2,635M	+112 (+4%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ PAPと競合後発品は引き続き高い水準を想定するも、現適応症での継続成長を期待し、物量は一桁台半ばの成長を見込む ✓ 今後の成長ドライバーであるM0 CSPCの承認取得を今年度中に見込む
エスタブリッシュドマーケット（€ベース）	€1,419M	+14 (+1%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ M1 CSPCの処方拡大が牽引し、物量は一桁台半ばの成長を見込む ✓ 一方で、競合環境の激化や価格圧力の拡大によるマイナス影響を見込む
日本	582億円	+35 (+6%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 競合激化の影響を見込むも、M1 CSPCの成長を中心とした売上拡大を期待
グレーターチャイナ	145億円	+34 (+31%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 中国にてM0 CRPC（追加適応）の保険償還が2023年3月に開始、売上貢献を見込む
インターナショナルマーケット	559億円	+3 (+0%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 為替の影響を除くと二桁成長 ✓ M1 CSPCの追加適応の承認や保険償還を獲得する国の増加を見込む

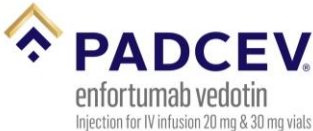
*2023年度予想の為替レートに揃えた場合

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、CRPC: 去勢抵抗性前立腺がん

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

2023年度通期業績予想：パドセブ（地域別）

32

	2023年度予想	前期比	主な成長要因
	667億円	+223 (+50%) 為替の影響を除く* 〔+235 (+54%)〕	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は、米国のmUC一次治療による貢献を中心に、力強い成長を見込む ✓ 全ての地域で売上の拡大を見込む
米国（\$ベース）	\$341M	+126 (+59%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 成長ドライバーであるmUC一次治療の追加適応の承認を2023年4月に取得、本格的な売上拡大を期待
エスタブリッシュドマーケット（€ベース）	€82M	+34 (+70%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 市場の大きいドイツやフランス、イタリア、スペインにおける保険償還の獲得を見込み、更なる成長を期待
日本	99億円	+15 (+18%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 現適応症における継続成長を見込み、売上拡大を期待
インターナショナルマーケット	9億円	+8 (+887%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 発売国の増加や保険償還の獲得により、売上貢献を見込む

*2023年度予想の為替レートに揃えた場合、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

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)	2022年3月末	2023年3月末
総資産	23,324	24,565
現金及び現金同等物	3,160	3,768
親会社所有者帰属持分	14,603	15,080
親会社所有者帰属持分比率(%)	62.6%	61.4%
(億円)	2021年度	2022年度
営業CF	2,574	3,278
投資CF	-624	-845
フリーCF	1,950	2,433
財務CF	-2,163	-1,956
短期借入金及びCPの増減額	-300	-150
社債発行及び長期借入れによる収入	-	500
社債の償還及び長期借入金の返済による支出	-300	-500
自己株式取得	-507	-606
配当金支払額	-852	-1,004

社債(CPを含む)および借入金残高: 1,250億円

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

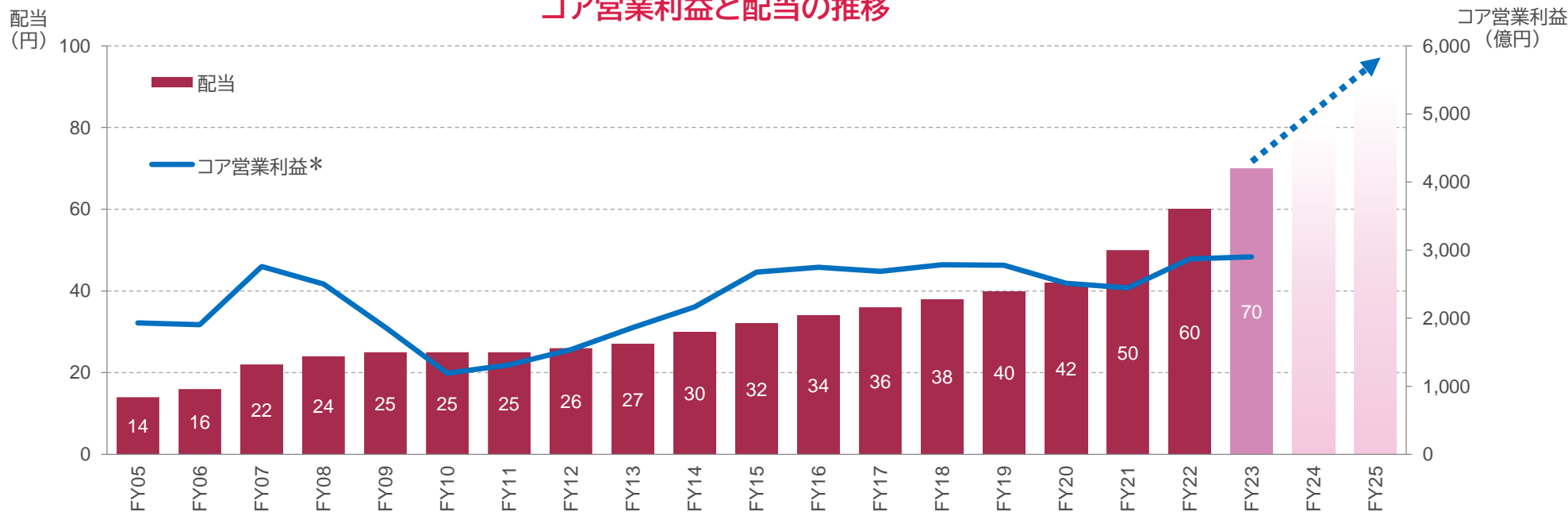
② 利益・資金計画および実績に基づき、経営計画期間を通じた配当水準の引き上げ

③ 余剰資金が生じた際は、自己株式取得を機動的に実施

2023年2月決定の自己株式取得
 ■ 期間:23年2月7日~3月15日
 ■ 取得株式総数:2,618万株
 ■ 取得価額:500億円

経営計画2021の期間中は堅調な利益成長予想に基づき、より高い水準の配当を目指す

コア営業利益と配当の推移



イメージ図

*2012年度(2013年3月期)以前は、日本基準の営業利益

成長の基盤となる開発パイプライン

35

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

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)

bocidelpar/ASP0367
(原発性ミトコンドリアミオパチー)

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
(治療歴のあるmUC:中国)

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

■ 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



エンホルツマブ ベドチン エンホルツマブ ベドチン
PD-1またはPD-L1阻害剤および白金製剤を含む化学療法による治療歴のある局所進行性または転移性尿路上皮がん: 中国
治療歴のない局所進行性または転移性尿路上皮がん (シスプラチン不適合): 米国

開発中止

- ASP9801: がん(第I相)
- ASP7517: 急性骨髄性白血病および骨髄異形成症候群(第II相)、固形がん(第I相)
- ASP0739: がん(第I相)
- ASP8731: 鎌状赤血球症(第I相)
- FX-322: 感音難聴(第II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)

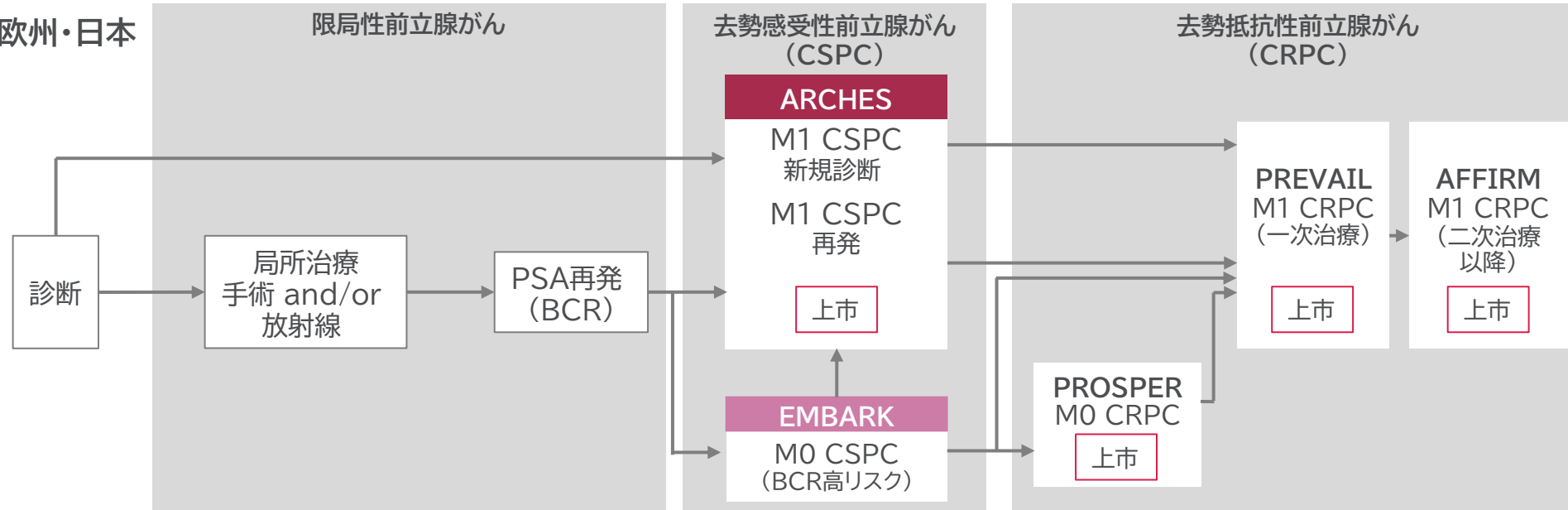
プロジェクト / 製品	適応症	最新状況
エンザルタミド / XTANDI	M1 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> 欧州:添付文書へのOSデータ追加について2023年3月に承認取得 中国:第Ⅲ相China ARCHES試験のトップライン結果を2023年3月に入手
	M0 CSPC	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相EMBARK試験のトップライン結果を2023年3月に入手。試験結果を欧州2023年4月の米国泌尿器科学会(AUA)で発表予定
エンホルツマブ ベドチン / パドセブ	転移性尿路上皮がん	<ul style="list-style-type: none"> 治療歴なし(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) 治療歴あり:中国で申請が2023年3月に受理
	筋層浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
	その他の種類の固形がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ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MORPHO試験のトップライン結果を2023年3月に入手
	未治療AML(強力な化学療法適応)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中
	未治療AML(強力な化学療法不適応)	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中
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"> 第Ⅲ相SPOTLIGHT試験の結果を2022年11月に、GLOW試験のトップライン結果を2022年12月に入手。GLOW試験の結果を2023年3月の米国臨床腫瘍学会(ASCO)Plenary Seriesで発表。SPOTLIGHT試験の結果を2023年4月にLancet誌で発表
	膵臓腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中
fezolinetant	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> 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Ⅲb相DAYLIGHT試験進行中(症例組み入れ終了)。第Ⅲ相SKYLIGHT 1試験の結果を2023年3月にLancet誌で発表 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 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
AT132 (resamirigene bilparvovec)	X連鎖性ミオチューブラーミオパチー	<ul style="list-style-type: none"> 重篤な有害事象により、FDAの指示により臨床試験(ASPIRO試験)を差し止め(clinical hold)

M1:転移性、M0:非転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、OS:全生存期間、AUA:American Urological Association、AML:急性骨髄性白血病、ASCO:American Society of Clinical Oncology、LSLV:最終症例における最終観察、FDA:米国食品医薬品局

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: ARCHES	NCT02677896	M1 CSPC	エンザルタミド+ADT vs. プラセボ+ADT	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 添付文書へのOSデータ追加について、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、 2023年に欧州で承認取得
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3月にトップライン結果を入手

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

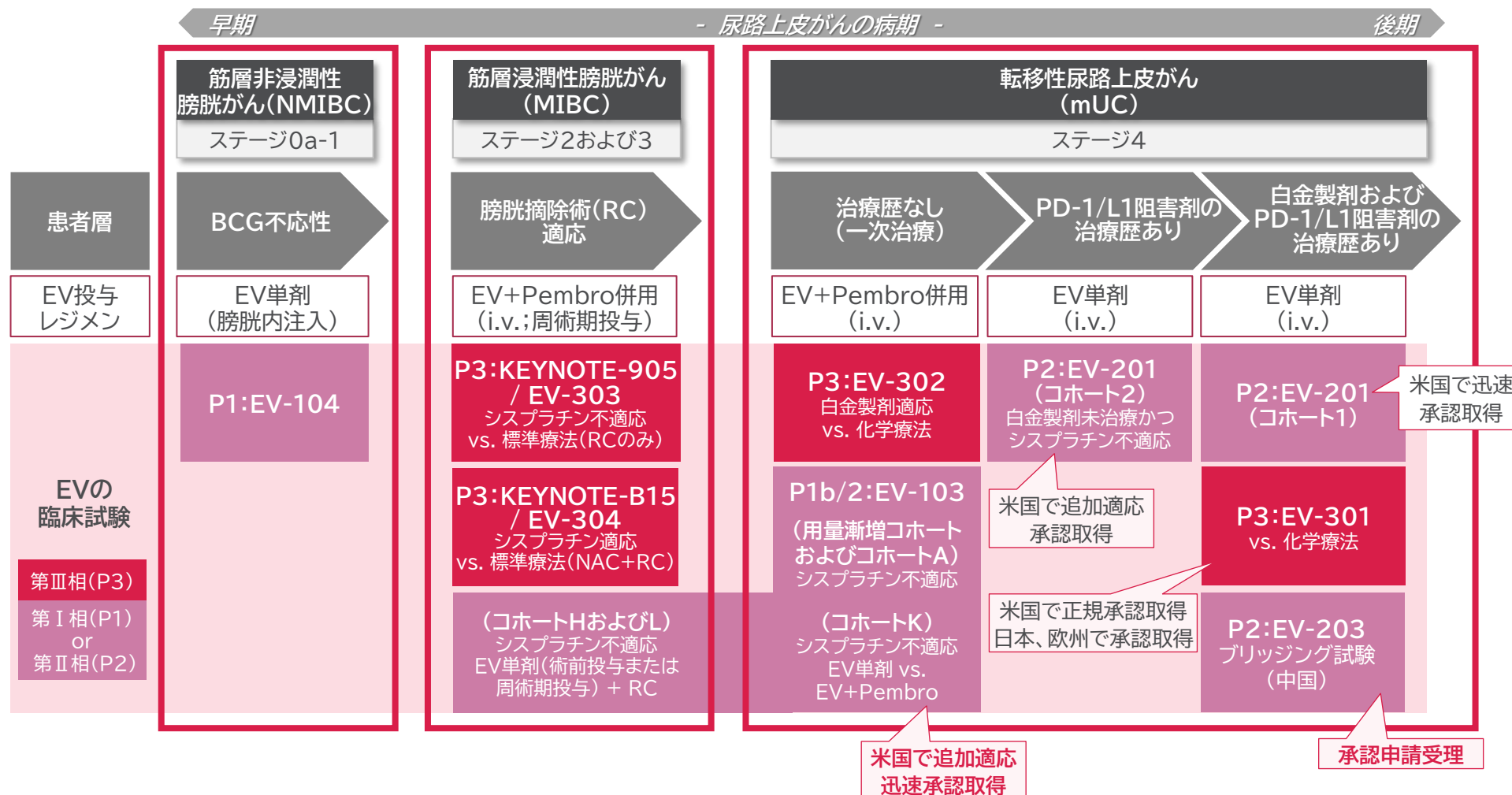
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

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	✓ 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

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: ペムプロリズマブ、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=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	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	2023年3月に承認申請受理
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

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

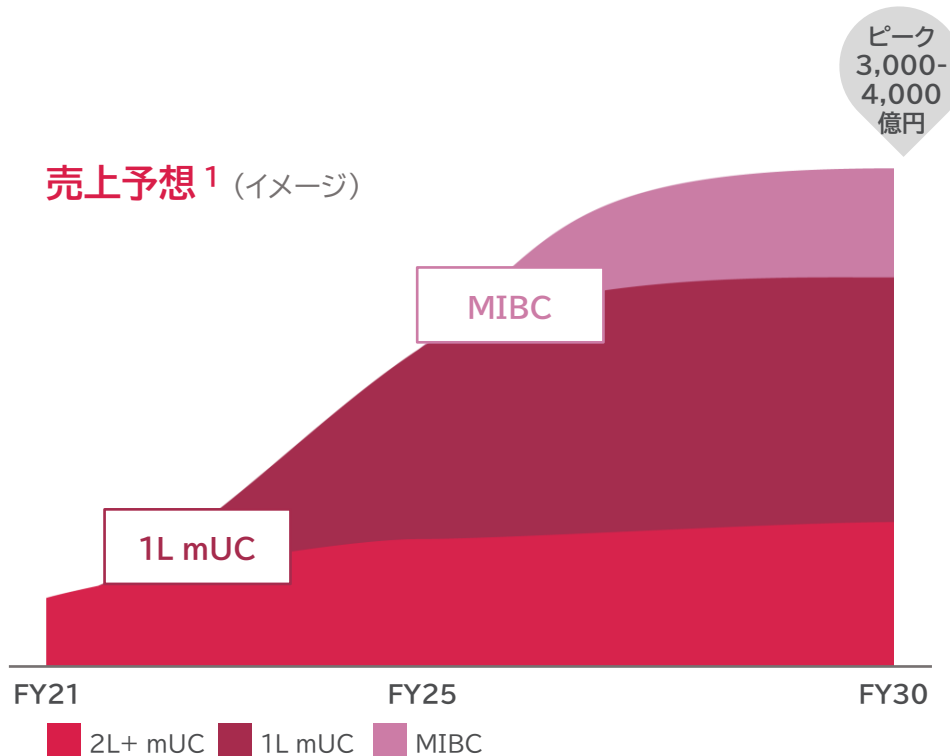
Cis:シスプラチン、Pembro:ペムブロリズマブ、pCR:病理学的完全奏効、EFS:無事象生存期間、CR:完全奏効、HR:ハザード比

エンホルツマブ ベドチン(EV)(4/4): 今後の展望

(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

売上予想¹ (イメージ)



<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)	申請目標時期	対象患者数 ²
MIBC	Cis不適応	EV-303 (ペムプロリズマブとの併用)	2025年度以降	10,000
	Cis適応	EV-304 (ペム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] (ペムプロリズマブとの併用)	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

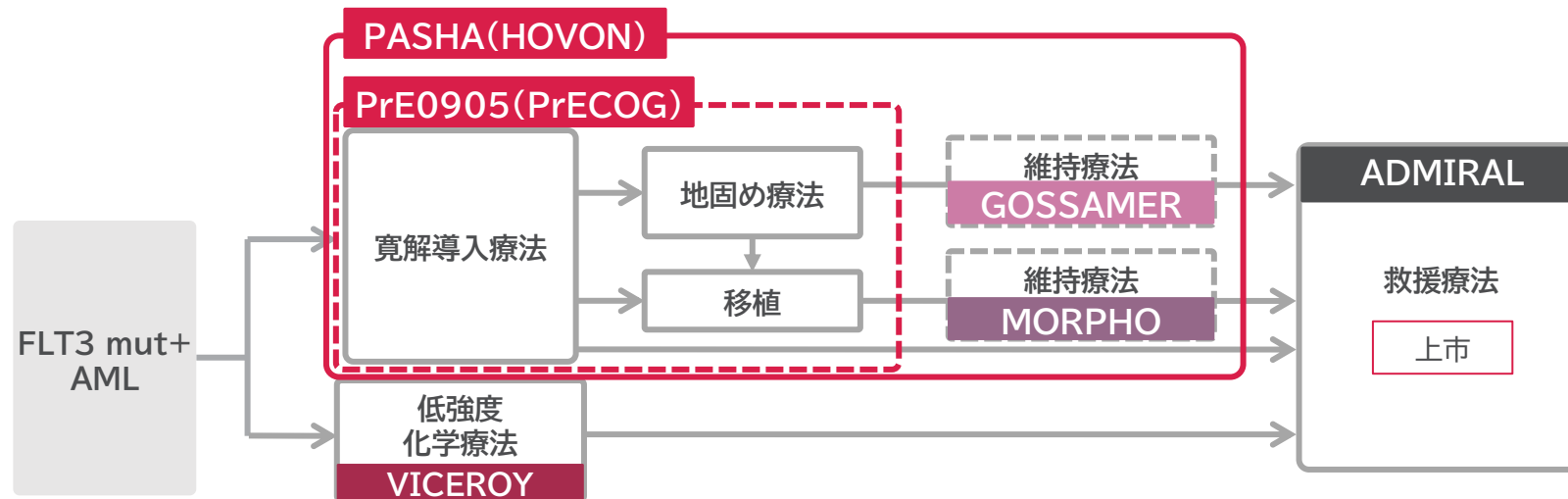
<開発初期段階>

患者層	試験 (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

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	NCT02421939	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)	NCT04027309	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)	NCT03836209		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	NCT02997202	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	NCT02927262	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	NCT05520567	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

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	NCT03504397	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	NCT03653507	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	NCT03505320	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	NCT03816163	一次治療、nab-パクリタキセルおよびゲムシタビンとの併用、非盲検	n=369	FSFT:2019年5月

fezolinetant: NK3受容体拮抗剤

(赤字:前回の決算発表以降の進捗)

血管運動神経症状(VMS)はQoL(生活の質)に大きな影響を及ぼす

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

Women's Health Initiative(WHI)の臨床研究²

- 初期のデータ解析で、慢性的なホルモン補充療法(HRT)の使用と心血管疾患および乳がんのリスクの増加との関連が示された
- WHIの報告以降、HRTの使用は急激に低下した
- その後の解析で、HRTは適切な患者で適切な方法(正しい時間、製剤、用量、期間)で開始されれば安全かつ有効であることが証明されたが、処方には元に戻らず、満足度のいく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	NCT04003155	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	NCT04003142		n=501	
第Ⅲ相: SKYLIGHT 4	NCT04003389	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	NCT05033886	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	NCT04234204	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	NCT04451226	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	NCT05034042	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

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

47

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

変化する医療の最先端へ

