

2023年度決算概況



2024年4月25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 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2024年度 連結業績予想
経営計画2021の見通し

2023年度決算：概要

売上収益は前期比較で増加。修正した通期予想を上回る着地

- XTANDI：前期比較で約900億円増加、通期予想の達成に貢献
- PADCEV、XOSPATA、VEOZAH、IZERVAY：前期比較で約700億円増加、成長ドライバーとして売上拡大に貢献

費用項目

- 販管費：前期比較で主にIveric Bio社買収の影響や成長ドライバーへの投資により増加
経営資源のタイムリーな見直しにより、想定を上回る効果的なコストマネジメントを実現
- 研究開発費：計画通りに使用

コア営業利益

- 主にIveric Bio社買収の影響により前期比較で減少
- 修正した通期予想に対しては、売上収益の上振れと効果的なコストマネジメントにより想定を上回る着地

2023年度業績

(億円)	2022年度	2023年度	増減額	増減率	2023年度 通期予想	達成率	為替の影響(前期比較)
売上収益	15,186	16,037	+851	+5.6%	15,620	102.7%	+963
売上原価	2,884	2,925	+41	+1.4%			+158
売上収益比率	19.0%	18.2%	-0.7 ppt				
販管費	6,303	7,401	+1,098	+17.4%	7,310	101.2%	+443
内、米国XTANDI共同販促費用	1,755	1,949	+194	+11.0%	1,870	104.3%	+122
上記を除く販管費	4,548	5,452	+905	+19.9%	5,440	100.2%	+320
研究開発費	2,761	2,942	+181	+6.5%	2,860	102.9%	+125
無形資産償却費	384	988	+604	+157.1%			注)2QからIZERVAYの無形資産償却を開始
無形資産譲渡益	2	97	+95	-			
コア営業利益	2,869	1,846	-1,023	-35.6%	1,640	112.6%	+191
<フルベース>							主なその他の費用(4Q計上分)
その他の収益	36	87	+50	+138.7%			・ 減損損失: 563 (AT808: 399、エベレンゾ: 164)
その他の費用	1,575	1,678	+103	+6.5%			・ ソルベツキシマブの条件付対価にかかると公正価値増加*: 80
営業利益	1,330	255	-1,075	-80.8%	130	196.3%	
税引前当期利益	1,324	250	-1,074	-81.1%	120	208.1%	
当期利益	987	170	-817	-82.7%	30	568.2%	

通期予想: 2024年2月修正公表。フルベースは2024年4月12日修正公表。為替レートの想定: 1ドル140円、1ユーロ152円

2023年度の為替レート(実績): 1ドル145円、1ユーロ157円

*膵臓腺がんの開発計画の更新および為替レートの変動により計上

2023年度業績：主要製品

成長ドライバーとして売上収益の拡大に大きく貢献

(億円)	2023年度実績	前期比	通期予想*	達成率	
 Xtandi (enzalutamide)	7,505	+893 (+14%)	7,198	104%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想を上回り達成 ✓ 発売から10年以上経過した今も、全ての地域で売上が拡大 ✓ 為替の影響を除いても約6%成長
 PADCEV enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials	854	+409 (+92%)	852	100%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は2Qに大きく上方修正した通期予想を上回り達成 ✓ 米国：1L mUCの浸透が大きく牽引し、物量は2倍以上増加(前期比+103%)
 XOSPATA gilteritinib 40mg tablets	551	+85 (+18%)	552	100%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想に沿って拡大 ✓ 発売している全ての地域で売上が拡大
 VEOZAH (fezolinetant) tablets 45 mg	73	+73	71	102%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 3Qに見直した修正予想に沿って着地 ✓ 民間保険カバレッジは想定通り50%まで拡大したが、引き続きマーケットアクセスの現状に対する医師のパーセプションは低い
 izervay (avacincaptad pegol intravitreal solution) 2 mg	121	+121	110	110%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 通期予想を上回る実績を達成、3Qから4Qにかけてバイアル需要が倍増 ✓ 4Q単体(1-3月)のマーケットシェアは約25%と推定 ✓ 発売から5万以上のバイアルを出荷、約1,000の専門施設で採用

*XTANDI・PADCEV・XOSPATA:2023年11月に修正公表(上方修正)、VEOZAH:2024年2月に修正公表(下方修正)、IZERVAY:2023年11月に公表(公表から変更なし)
 2023年度の為替レート(実績):1ドル145円、1ユーロ157円、1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、NCCN:National Comprehensive Cancer Network、2L+:二次治療以降
 VEOZAH:欧州ではVEOZAの製品名で承認取得 主要製品の詳細はスライド24-27に掲載

2023年度業績：費用項目

- 販管費：前期比較で主にIveric Bio社買収の影響や成長ドライバーへの投資により増加
 経営資源のタイムリーな見直しにより、想定を上回る効果的なコストマネジメントを実現(為替影響を除く)
- 研究開発費：計画通りに使用

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	(億円)
売上原価	1.4%増加	18.2% (前期比-0.7 ppt)	-	売上原価率は製品構成の変化により前期比較で改善
販管費 米国XTANDI共同 販促費用を除く	19.9%増加 (為替の影響を 除くと12.8%増加)	34.0% (前期比+4.1 ppt)	100.2%	為替の影響を除く前期比：約+580 ✓ Iveric Bio社買収の影響(前期比：約+310) ✓ VEOZAH関連の費用増加(前期比：約+400) ✓ 成熟製品の費用削減(前期比：約-80)
研究開発費	6.5%増加 (為替の影響を 除くと2.0%増加)	18.3% (前期比+0.2 ppt)	102.9%	主に為替やIveric Bio社買収の影響で増加

通期予想：2024年2月修正公表。為替レートの想定：1ドル140円、1ユーロ152円
 2023年度の為替レート(実績)：1ドル145円、1ユーロ157円

本日の内容

I 2023年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2024年度 連結業績予想
経営計画2021の見通し

持続的な成長に向けた取り組み：四半期アップデート概要

XTANDIおよび重点戦略製品

- エンザルタミド / XTANDI : M0 CSPC*適応追加承認(欧州)
- エンホルツマブ ベドチン / PADCEV: 1L mUC適応追加申請受理(中国)
- ゾルベツキシマブ / VYLOY : 承認(日本)
- fezolinetant / VEOZAH : 第Ⅲ相試験開始(日本)、追加適応第Ⅲ相試験開始予定
- avacincaptad pegol / IZERVAY : ラベル改訂申請受理(米国)

Focus Areaアプローチ

- 臨床入り : ASP2016(遺伝子治療)、ASP2802(がん免疫)、ASP4396(標的タンパク質分解誘導)
- 臨床試験の進展 : ASP2138 第Ⅰ相試験 用量拡大コホート開始
- プロジェクト中止 : ASP2074(がん免疫)、ASP0367(ミトコンドリア)
- Primary Focusミトコンドリアの解消

Rx+プログラム

- BlueStar(糖尿病を対象としたデジタルセラピューティクス): 検証的治験開始(日本)

VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

*生化学的再発高リスク

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

XTANDIおよび重点戦略製品：2023年度の主なイベント

2023年度はVYLOY、VEOZAH、IZERVAYが承認取得、XTANDI、PADCEVが適応拡大を達成

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)
エンザルタミド/ XTANDI		申請受理 (M0 CSPC*:米国) ★ 8月	申請受理 (M0 CSPC*:欧州、M1 CSPC:中国) ★ 9月	承認(M0 CSPC*:米国) ★ 11月 承認(M0 CSPC*:欧州) ★ 4月
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		EV-302試験TLR ★ 9月	申請受理 (1L mUC:米国) ★ 11月 承認(米国) ★ 12月	申請受理 (1L mUC:欧州、日本) ★ 1月 申請受理 (1L mUC:中国) ★ 3月
ゾルベツキシマブ /VYLOY	申請受理(日本) ★ 6月	申請受理(米国、欧州、中国) ★ 7月		承認(日本) ★ 3月 審査完了報告 (米国) ★ 1月
fezolinetant/ VEOZAH	承認(米国) ★ 5月		承認(欧州) ★ 12月	
avacincaptad pegol/ IZERVAY		承認(米国) ★ 申請受理(欧州) ★ 8月	GATHER2試験 TLR(24カ月) ★ 9月	申請受理 (ラベル改訂:米国) ★ 3月

<その他のアップデート>

- fezolinetant / VEOZAH: 4Qに日本第Ⅲ相試験(STARLIGHT 2、STARLIGHT 3)において最初の症例への投与
補助内分泌療法中の乳がん患者におけるVMSを対象とした第Ⅲ相試験を2024年度2Qに開始予定

2024年4月時点、VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

*生化学的再発高リスク

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、VMS: 血管運動神経症状

Focus Areaアプローチの進展：臨床試験段階プロジェクトの現況

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	第 I 相試験進行中
		ASP2016 ●	FXN遺伝子	第 I 相試験を2024年度3Qに開始予定
がん免疫	チェックポイント	ASP1570 ●	DGKζ阻害剤	第 I 相試験進行中 用量拡大コホートを2024年度前半に開始予定
	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、 用量拡大コホート開始
		ASP2074 ●	抗TSPAN8/抗CD3	開発中止
		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)	ASP1012 ●	レプチン-IL-2	第 I 相試験を2024年度1Qに開始予定
がん細胞医療	ASP2802 ●	CD20 convertible CAR-T(自家細胞)	第 I 相試験を2024年度1Qに開始予定	
再生と視力の維持・回復	細胞補充	ASP7317 ●	網膜色素上皮細胞	第 I b相試験進行中
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	開発中止
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 用量拡大コホートを2024年度前半に開始予定
		ASP4396 ●	KRAS G12D分解	第 I 相試験進行中
その他(PF以外)	アビラテロン長時間作用型プロドラッグ	PRL-02 ●	CYP17リアーゼ阻害剤	第 I 相試験進行中

モダリティ

- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞

▶ PFミトコンドリア
解消

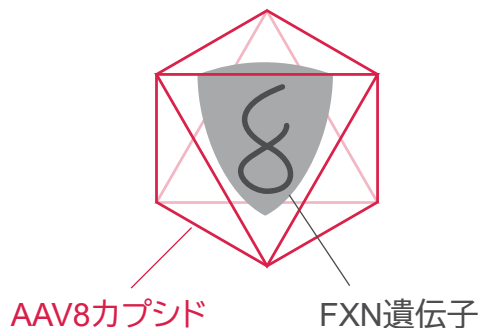
AAV: アデノ随伴ウイルス、MTM1: ミオチューブラリン1、FDA: 米国食品医薬品局、GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、FXN: フラタキシン、DGK: ジアシルグリセロールキナーゼ、TSPAN8: テトラスパニン8、IL-2: インターロイキン-2、CAR: キメラ抗原受容体、PPAR: パルオキシソーム増殖剤活性化受容体、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、PF: Primary Focus

Focus Areaアプローチの進展: 新たな臨床プログラム

ASP2016

ヒトフラタキシン(FXN)遺伝子をコードした遺伝子組み換えAAV8

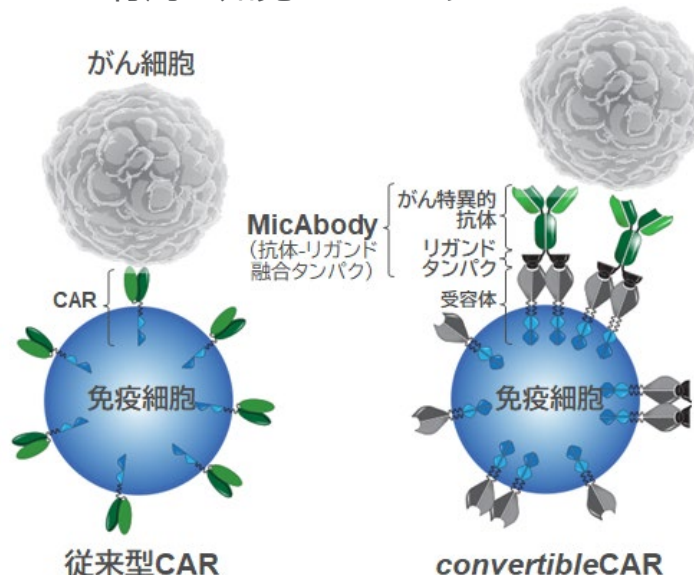
- 対象疾患:フリードライヒ運動失調症(FA)に伴う心筋症
 - ✓ FXNの機能喪失変異に起因する進行性の神経変性運動障害
 - ✓ 推定有病率(米国および欧州5カ国*): 5万-10万人に1人
 - ✓ FA患者の60%以上が心筋症を発症: 早期死亡の主要な要因
- 2024年3月にFDAからファストトラック指定を取得



ASP2802

自家T細胞とCD20標的MicAbodyから構成されるconvertibleCAR-T

- 対象疾患:CD20陽性B細胞リンパ腫
- MicAbodyの投与により活性を制御: 長期的な毒性の軽減や奏効期間の延長が期待される
- 将来の他家CARを活用するプログラムにも有用な知見をもたらす

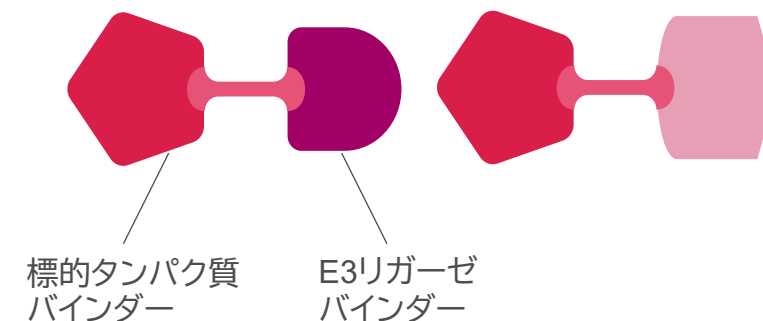


ASP4396

KRAS G12D変異体を標的とするタンパク質分解誘導剤

- 対象疾患:KRAS G12D変異を有するがん
- ASP3082と異なるE3リガーゼバインダー
- 第I相試験の最初の症例への投与を2024年4月に達成
- 標的タンパク質分解誘導プラットフォームの開発を強化することが期待される

<イメージ> ASP4396およびASP3082の構造



*ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス

AAV: アデノ随伴ウイルス、FA: Friedreich ataxia、FDA: 米国食品医薬品局、CAR: キメラ抗原受容体、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue

経営計画2021の振り返り

成果目標	当初の想定を上回る/下回る進捗・状況	対応策
1. 売上収益: XTANDIおよび重点戦略製品の売上は2025年度に1.2兆円以上	<ul style="list-style-type: none">● PADCEV EV-302試験● VEOZAHの立ち上がり● IRAメディケアパートD再設計	<ul style="list-style-type: none">● Iveric Bio社買収● LCMによる製品価値最大化 (ex. PADCEV、VYLOY適応拡大)
2. パイプライン価値: Focus Areaプロジェクトからの売上は2030年度に5,000億円以上	<ul style="list-style-type: none">● 新たなPrimary Focus (標的タンパク質分解誘導)● FAプロジェクトからのPoC未取得● Potenzaプログラム、aAVCプログラム、FX-322の中止	<ul style="list-style-type: none">● R&D組織・オペレーションの改編● 優先プロジェクトへの重点的なリソース配分● Propella社買収
3. コア営業利益率: 2025年度に30%以上	<ul style="list-style-type: none">● 費用コントロール(新製品への投資をオフセットするだけの費用削減が不十分)● 想定よりも早い後発品の参入	<ul style="list-style-type: none">● 将来成長への投資を確保した上での厳格な費用コントロール● デジタル活用によるオペレーション最適化

本日の内容

I 2023年度 連結業績

II 持続的な成長に向けた取り組み

III 2024年度 連結業績予想
経営計画2021の見通し

2024年度業績予想：計画策定の背景

意欲的かつ達成可能なバランスの取れた計画の策定

- ✓ VEOZAHの見通しアップデート
- ✓ 米国ミラベグロン後発品参入の影響の織り込み
- ✓ 重点戦略製品の本格的な成長(前期比較で1,200億円増加)
- ✓ より適切に収益力を示すため、コアベース業績の定義を変更
- ✓ 減損損失リスクなどのその他の費用*の織り込み(フルベース)

*過去計上したその他の費用実績や無形資産残高を基に見積もって算出(2024年4月時点で減損の兆候はありません)

2024年度通期業績予想: XTANDI、PADCEV、XOSPATA、VYLOY

PADCEV: 2024年度も更なる力強い成長を期待 / VYLOY: グローバルでの発売を見込む

(億円)	2024年度予想	2023年度比	
 <p>Xtandi (enzalutamide)</p>	7,570	+66 (+1%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は、米国以外の地域が米国IRAの影響をオフセットし、2023年度と同水準の売上規模を予想 ✓ 米国: M0 CSPCの伸長を期待するも、2025年1月施行予定のIRAメディケアパートD再設計によるマイナス影響(\$50-70M)を織り込み、売上減少を見込む ✓ 米国以外: M1 CSPCの伸長が牽引し、引き続き売上拡大を見込む
 <p>PADCEV enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials</p>	1,512	+659 (+77%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は年度を通じて四半期ごとの力強い継続成長を見込む ✓ 米国: 成長ドライバーとして1L mUCが年度を通じて貢献 3月にアップデートされたNCCNガイドライン(カテゴリー1に変更)による相乗効果を期待 ✓ 米国以外: 日本やEST、INTにて1L mUCの承認を年内に見込み、承認後は売上の加速を期待 引き続きグローバルで2L+ mUCの発売国と保険償還の増加を見込む
 <p>XOSPATA gilteritinib 40mg tablets</p>	600	+49 (+9%)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ ESTを中心に上市済みのマーケットでの継続成長を見込む ✓ INTで発売国と保険償還が開始する国の増加を見込む
 <p>VYLOY zolbetuximab for injection 100mg vial</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 2024年度予想に織り込み済み(数十億円)、発売初年度はCLDN18.2検査の浸透に注力 • 日本で3月に承認取得、6月発売を見込む。米国やEST、INT、中国は2Q以降に承認を見込む 		

2024年度の為替レート(想定): 1ドル145円、1ユーロ155円 M1: 転移性、M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、IRA (Inflation Reduction Act): インフレ抑制法、1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、NCCN: National Comprehensive Cancer Network、2L+: 二次治療以降
EST (Established Markets): 欧州、カナダ等 INT (International Markets): 中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、台湾、韓国、オーストラリア、輸出売上等 (2024年度から、台湾のコマーシャル区分をグレーターチャイナからINTに変更。グレーターチャイナの名称もチャイナに変更)

2024年度通期業績予想と今後の見通し: VEOZAH、IZERVAY

17

VEOZAH:前提条件を見直し、ピーク時売上予想をアップデート / IZERVAY:今後本格的な成長拡大を見込む



2024年度予想

2023年度比

283 億円

+210 (+288%)

<米国>

- ✓ 年度を通じてリニアな物量の増加を見込む
- ✓ 民間保険カバレッジは2024年度末までに80%以上を目指す
- ✓ 引き続き必要な投資を通じて、患者と医師のアクティベーション(意欲)の向上に取り組む。一方で、販促費はROIを意識し、期中にも随時適正化を図る

ピーク時売上予想のアップデート: **1,500 - 2,500 億円***

- ✓ 発売後の全体的な進捗状況や最新のマーケットリサーチを踏まえ、当初の前提条件を見直し、売上予想を下方修正
- ✓ これまで得られた知見やデータに基づき、下記項目の前提を変更(下方修正の主な要因)
 - アクセスと価格感受性: 保険カバレッジのプランタイプや患者の価格感受性に関する実態を織り込み、前提をアップデート
 - 治療率: VMS市場全体における治療率の伸長に関する見通しを変更
 - クラスシェア(VMS市場内のNK治療剤シェア): シェアの想定推移を変更



2024年度予想

2023年度比

464 億円

+343 (+283%)

<米国>

- ✓ 2024年度は四半期ごとに力強い継続成長を見込む
 - J-Codeの適用開始(4月1日から)
 - 年度内にラベルのアップデートを見込む(PDUFA date: 11月19日)
- ✓ J-Codeの適用開始以降、既存の処方医師のみならず、J-Codeを待ち望んでいた医師からも本格的な処方拡大トレンドの兆候
- ✓ 2024年度末までにトータル患者シェア約40%を目指す

今後の見通し

- ✓ 発売時に見込んでいた2025年度の見通し(1,000億円以上)に対して期待通りに推移
- ✓ 2025年度から売上がIZERVAY関連費用(販管費や原価)を大きく上回ることを見込み、本格的な利益貢献を期待

2024年度の為替レート(想定): 1ドル145円、1ユーロ155円 *従来のピーク時売上予想は3,000-5,000億円、VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得
ROI(Return On Investment): 投資利益率、VMS(Vasomotor symptoms): 血管運動神経症状、PDUFA(Prescription Drug User Fee Act): 審査終了目標日



XTANDIおよび重点戦略製品：2024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			当局判断 (M1 CSPC:中国)	
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		当局判断 (2L+ mUC:中国)	当局判断 (1L mUC:日本、欧州)	
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	再申請 (米国)	当局判断 (米国)	当局判断 (欧州)	当局判断 (中国) TLR* (膵臓腺がん)
avacincaptad pegol/ IZERVAY			審査終了目標日 (ラベル改訂:米国) 11月	当局判断 (欧州)

 当局判断

 申請

 データ判明

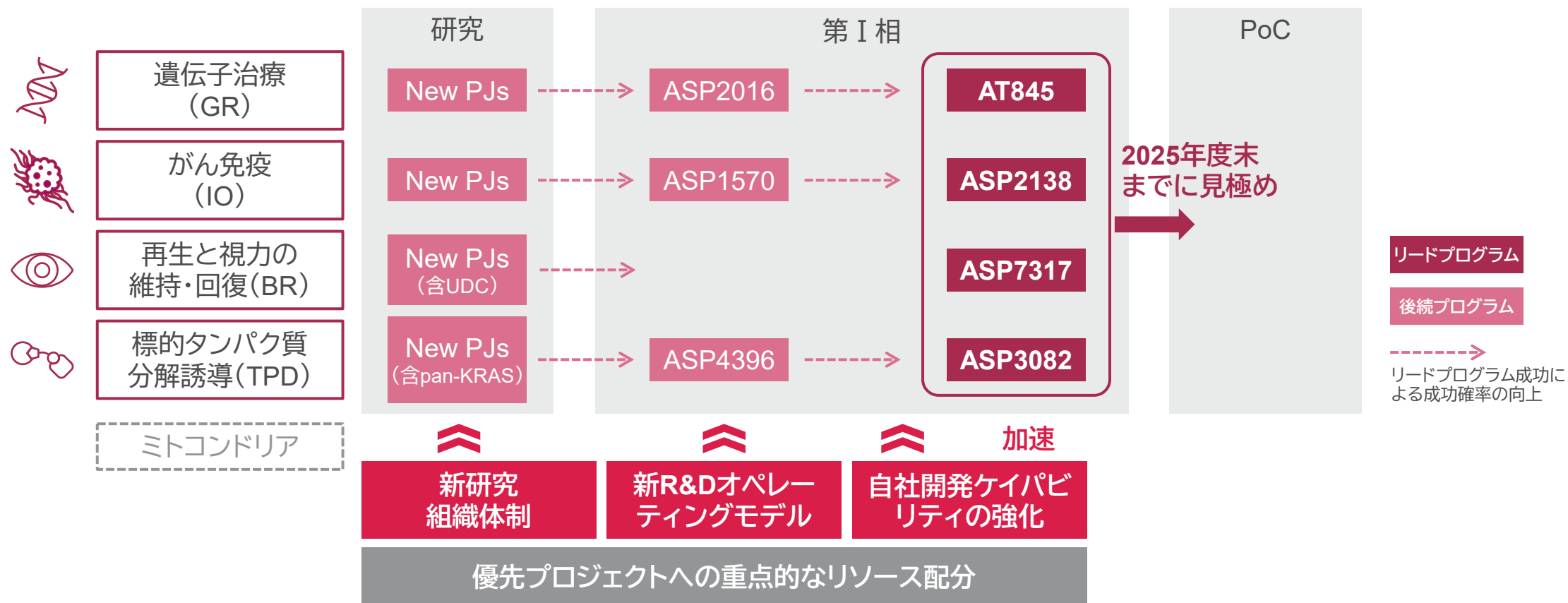
2024年4月時点

*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

M1: 転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、2L+: 二次治療以降、mUC: 転移性尿路上皮がん、1L: 一次治療、TLR: トップライン結果

Focus Areaアプローチ：今後の見通し

- 各PFのリードプログラムで2025年度末までのPoC見極めを見込む (GR:AT845、IO:ASP2138、BR:ASP7317、TPD:ASP3082)
- リードプログラムが成功することで後続プログラムの成功に対する期待が向上
- 研究開発の組織やオペレーションの改編を通じてPoC見極めを加速



2024年度からコアベース業績の定義を変更

<背景>

- Iveric Bio社買収(2023年7月)に伴い、従来の定義では収益力を適切に表すことが困難となった
- 新定義のコアベース業績では、より適切に収益力を示すことができ、グローバル製薬企業との比較可能性も担保

<変更内容>

従来の調整項目に加え、「無形資産償却費」、「無形資産譲渡益」、「持分法による投資損益」を新たな調整項目として除外

(億円)		2021年度 実績	2022年度 実績	2023年度 実績	2024年度 予想
コア営業利益	<従来定義>	2,447	2,869	1,846	1,100
新たな 調整項目	無形資産償却費 (対売上収益比率)	283 (2.2%)	384 (2.5%)	988 (6.2%)	1,400 (8.5%)
	無形資産譲渡益	242	2	97	-
	持分法による投資損益	5	13	-32	-
コア営業利益	<新定義>	2,483	3,239	2,769	2,500

2024年度通期業績予想

- 主にPADCEV、VEOZAH、IZERVAYの成長(約+1,200億円)により増収を予想
- 米国ミラベグロン後発品の影響を織り込むも、今後の成長・価値向上に寄与しない費用の見直しを徹底的に進め、コア営業利益率の減少を約2%ポイントに抑える

(億円)	2023年度実績	2024年度予想	増減額	主な増減要因
売上収益	16,037	16,500	+463	<ul style="list-style-type: none"> • PADCEV、VEOZAH、IZERVAY: 約+1,200 • 米国ミラベグロン後発品参入による影響: 約-800
販管費	7,401	7,570	+169	<ul style="list-style-type: none"> • 重点戦略製品: 約+350 • 成熟製品の費用削減: 約-90 • 前年度実施したグローバル組織改革: 約-100
内、米国XTANDI共同販促費用	1,949	1,890	-59	
上記を除く販管費	5,452	5,680	+228	
研究開発費	2,942	3,170	+228	<ul style="list-style-type: none"> • Primary Focus(主にIO・TPD)やR&D機能強化: 約+250 • R&Dポートフォリオの見直し: 約-30
コア営業利益(新定義)	2,769	2,500	-269	
コア営業利益率	17.3%	15.2%	-2.1 ppt	

<フルベース>

営業利益	255	480	+225
------	-----	-----	------

コアベースで除外されている主な調整項目

- 無形資産償却費: 1,400
- 減損損失リスクなどのその他の費用*: 600
(過去計上したその他の費用実績や無形資産残高を基に見積もり)

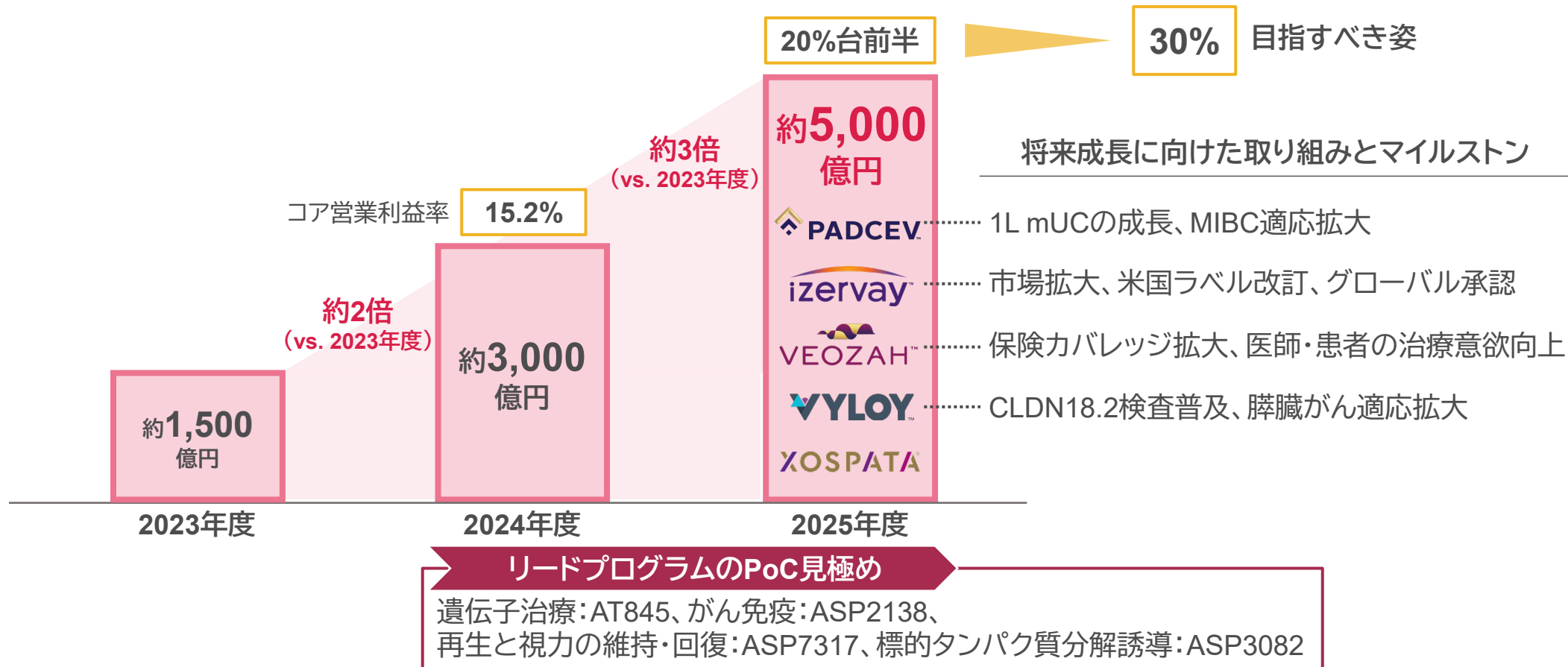
2024年度以降の利益成長を見据え、一株当たり配当金は4円増配の74円を予想

2024年度予想 為替レートの想定: 1ドル145円、1ユーロ155円 IO:がん免疫、TPD: 標的タンパク質分解誘導


*2024年4月時点で減損の兆候はありません

経営計画2021: 最新の見通し

2025年度の成果目標の達成は厳しいが、XTANDIの独占販売期間満了を克服できる体制を整える
2024年度から重点戦略製品が本格的に成長し、利益拡大に貢献



參考資料



XTANDI、XOSPATAのビジネスアップデート

それぞれ2Qに上方修正した通期予想に沿って拡大



2023年度実績	前期比	修正予想*	達成率
7,505 億円	+893 (+14%)	7,198	104%

- ✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想を上回り達成
- ✓ 発売から10年以上経過した今も、全ての地域で売上が拡大
- ✓ 為替の影響を除いても約6%成長
- ✓ 米国： EMBARK試験に基づくM0 CSPCの追加適応が牽引し、PAPを除く物量は着実に増加(前期比+4%)

2024年度予想	2023年度比
7,570 億円	+66 (+1%)

- ✓ グローバル売上は、米国以外の地域が米国IRAの影響をオフセットし、2023年度と同水準の売上規模を予想
- ✓ 米国： M0 CSPCの伸長を期待するも、2025年1月施行予定のIRAメディケアパートD再設計によるマイナス影響(約\$50-70M)を織り込み、売上減少を見込む
- ✓ 米国以外： M1 CSPCの伸長が牽引し、引き続き売上拡大を見込む



2023年度実績	前期比	修正予想*	達成率
551 億円	+85 (+18%)	552	100%

- ✓ グローバル売上は2Qに上方修正した通期予想に沿って拡大
- ✓ 発売している全ての地域で売上が拡大

2024年度予想	2023年度比
600 億円	+49 (+9%)

- ✓ ESTを中心に上市済みのマーケットでの継続成長を見込む
- ✓ INTで発売国と保険償還が開始する国の増加を見込む

*2023年11月公表、2023年度の為替レート(実績):1ドル145円 1ユーロ157円、2024年度の為替レート(想定):1ドル145円 1ユーロ155円
M1: 転移性、M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、PAP (Patient Assistance Program): 患者アクセスプログラム、IRA (Inflation Reduction Act): インフレ抑制法
EST (Established Markets): 欧州、カナダ等 INT (International Markets): 中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、台湾、韓国、オーストラリア、輸出売上等
(2024年度から、台湾のコマーシャル区分をグレーターチャイナからINTに変更。グレーターチャイナの名称もチャイナに変更)



PADCEV、VYLOYのビジネスアップデート

25

PADCEVは2倍近い成長を達成、2024年度も更なる力強い成長を期待。VYLOYはグローバルでの発売を見込む

2023年度実績	前期比	修正予想*	達成率
854 億円	+409 (+92%)	852	100%

2024年度予想	2023年度比
1,512 億円	+659 (+77%)



- ✓ グローバル売上は2Qに大きく上方修正した通期予想を上回り達成
- <米国>
 - ✓ 1L mUCの浸透が大きく牽引し、物量が2倍以上増加(前期比+103%)
 - ✓ NCCNガイドラインが3月にアップデート、1L mUC治療に対する推奨度が従来のカテゴリー2からカテゴリー1の優先推奨に変更
- <米国以外>
 - ✓ 発売国は36カ国まで拡大(2023年度で+14カ国)

- ✓ グローバル売上は年度を通じて四半期ごとの力強い継続成長を見込む
- <米国>
 - ✓ 成長ドライバーとして1L mUCが年度を通じて貢献
 - ✓ NCCNガイドラインのアップデート(カテゴリー1)による相乗効果を期待
- <米国以外>
 - ✓ 日本やEST、INTにて1L mUCの承認を年内(2024年12月まで)に見込み、承認後は売上の加速を期待
 - ✓ 引き続きグローバルで2L+ mUCの発売国と保険償還の増加を見込む



- 2024年度予想に織り込み済み(数十億円)、発売初年度はCLDN18.2検査の浸透に注力
- 日本で3月に承認取得、6月発売を見込む
- 米国やEST、INT、中国は2Q以降に承認を見込む

*2023年11月公表、2023年度の為替レート(実績):1ドル145円 1ユーロ157円、2024年度の為替レート(想定):1ドル145円 1ユーロ155円

1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、NCCN:National Comprehensive Cancer Network、2L+:二次治療以降

EST(Established Markets):欧州、カナダ等 INT(International Markets):中南米、中東、アフリカ、東南アジア、南アジア、ロシア、台湾、韓国、オーストラリア、輸出売上等(2024年度から、台湾のコマーシャル区分をグレーターチャイナからINTに変更。グレーターチャイナの名称もチャイナに変更)



VEOZAHのビジネスアップデート

2024年度も引き続き保険カバレッジの拡大を目指す。ピーク時売上予想は、当初の前提条件を見直しアップデート

2023年度実績	修正予想*	達成率	2024年度予想	2023年度比
73 億円	71	102%	283 億円	+210 (+288%)
<p><米国></p> <ul style="list-style-type: none">✓ 3Qに見直した修正予想に沿って着地✓ 3Qから4Qにかけて物量は着実に増加(3Q vs. 4Q: 約+60%)✓ 累計3.5万人以上の医師がVEOZAHを処方✓ 民間保険カバレッジは想定通り50%まで拡大したが、引き続きマーケットアクセスの現状に対する医師のパーセプションは低い	<p><米国></p> <ul style="list-style-type: none">✓ 年度を通じてリニアな物量の増加を見込む✓ 民間保険カバレッジは2024年度末までに80%以上を目指す✓ 引き続き必要な投資を通じて、患者と医師のアクティベーション(意欲)の向上に取り組む。一方で、販促費はROIを意識し、期中にも随時適正化を図る <p><米国以外></p> <ul style="list-style-type: none">✓ 発売国の増加を見込み、売上貢献を期待			

ピーク時売上予想のアップデート: **1,500 - 2,500 億円****

- ✓ 発売後の全体的な進捗状況や最新のマーケットリサーチを踏まえ、当初の前提条件を見直し、売上予想を下方修正
- ✓ これまで得られた知見やデータに基づき、下記項目の前提を変更(下方修正の主な要因)
 - アクセスと価格感受性: 保険カバレッジのプランタイプや患者の価格感受性に関する実態を織り込み、前提をアップデート
 - 治療率: VMS市場全体における治療率の伸長に関する見直しを変更
 - クラスシェア(VMS市場内のNK治療剤シェア): シェアの想定推移を変更

*2024年2月公表、**従来のピーク時売上予想は3,000-5,000億円、VEOZAH: 欧州ではVEOZAの製品名で承認取得
2023年度の為替レート(実績): 1ドル145円 1ユーロ157円、2024年度の為替レート(想定): 1ドル145円 1ユーロ155円
DTC: Direct-to-consumer、NK(Neurokinin): ニューロキニン、HRT(Hormone replacement therapy): ホルモン補充療法

IZERVAYのビジネスアップデート(米国)



発売以来、想定を上回るスピードで成長。2024年度は本格的な成長拡大を見込む

2023年度実績	通期予想*	達成率
121 億円	110	110%

2024年度予想	2023年度比
464 億円	+343 (+283%)

- ✓ 通期予想を上回る実績を達成、3Qから4Qにかけてバイアル需要が倍増
- ✓ 4Q単体(1-3月)のマーケットシェアは約25%と推定 (出荷の数量データや市場調査から算出)
- ✓ 発売から5万以上のバイアルを出荷、約1,000の専門施設で採用
- ✓ 市販後の安全性プロファイルはこれまでの臨床試験で得られた結果と同等

- ✓ 2024年度は四半期ごとに力強い成長を見込む
 - J-Codeの適用開始(4月1日から)
 - 年度内にラベルのアップデートを見込む(PDUFA date: 11月19日)
- ✓ J-Codeの適用開始以降、既存の処方医師のみならず、J-Codeを待ち望んでいた医師からも本格的な処方拡大トレンドの兆候
- ✓ 2024年度末までにトータル患者シェア約40%を目指す

<今後の見通し>

- 発売時に見込んでいた2025年度の見通し(1,000億円以上)に対して期待通りに推移
- 2025年度から売上がIZERVAY関連費用(販管費や原価)を大きく上回ることを見込み、本格的な利益貢献を期待

*2023年11月公表(公表から変更なし)、2023年度の為替レート(実績):1ドル145円 1ユーロ157円、2024年度の為替レート(想定):1ドル145円 1ユーロ155円

PDUFA(Prescription Drug User Fee Act):審査終了目標日

J-Code:医師のMedicare Part Bの請求を簡易にするために支払者(Payer)が使用するコード番号。請求と償還のプロセスを簡素化・合理化し、効率化な請求処理を可能とする



為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2022年度	2023年度	変動
ドル	135円	145円	9円安
ユーロ	141円	157円	16円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益:963億円の増加、コア営業利益:191億円の増加

2024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）	2023年度	2024年度予想	変動
ドル	145円	145円	-
ユーロ	157円	155円	2円高

業績予想前提と比較して1円安となった場合の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円安	
	売上収益	コア営業利益*
ドル	約61億円増加	約3億円増加
ユーロ	約30億円増加	約12億円増加

*新定義

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	2024年3月末
総資産	24,565	35,696
現金及び現金同等物	3,768	3,357
親会社所有者帰属持分	15,080	15,960
親会社所有者帰属持分比率(%)	61.4%	44.7%

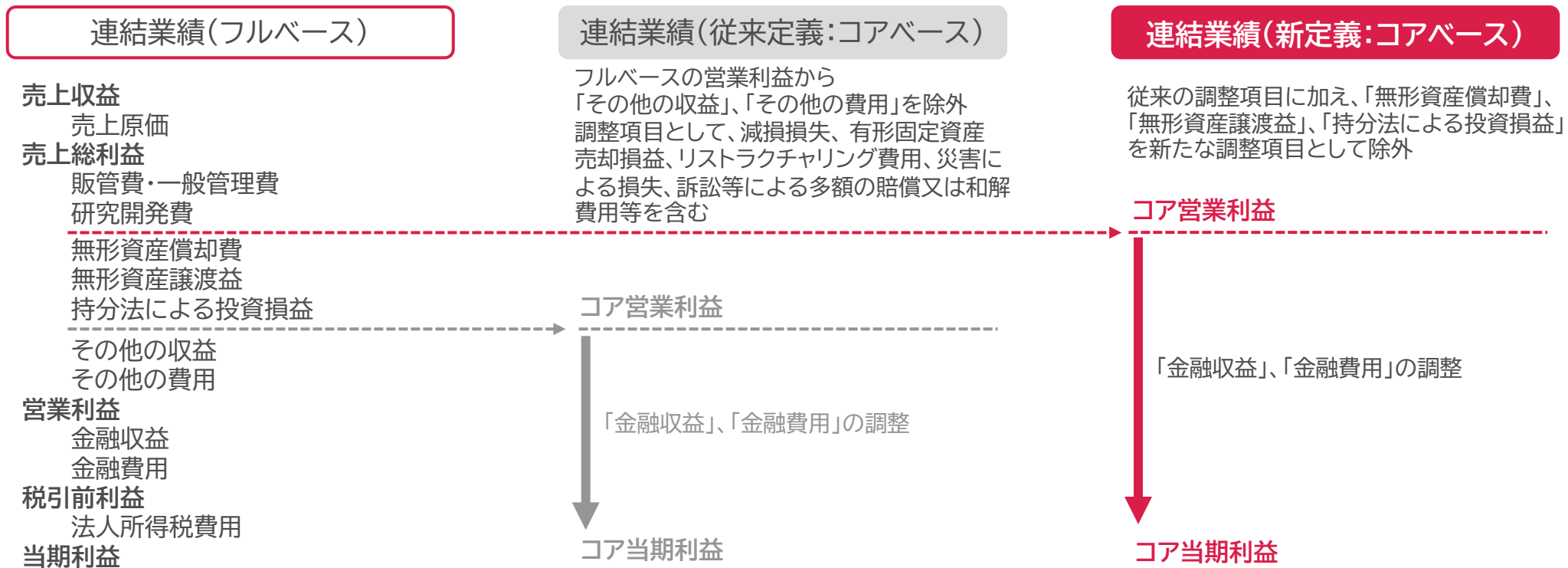
(億円)	2022年度	2023年度
営業CF	3,278	1,725
投資CF	-845	-8,458
フリーCF	2,433	-6,733
財務CF	-1,956	6,141
短期借入金及びCPの増減額	-150	3,243
社債の発行及び長期借入れによる収入	500	4,723
自己株式取得	-606	-107
配当金支払額	-1,004	-1,167

資金調達残高のハイライト

(億円)	2023年12月末	2024年3月末
資金調達残高	8,710	9,200
非流動負債	4,638	4,477
社債	2,500	2,500
長期借入金	2,138	1,977
流動負債	4,072	4,723
コマーシャル・ペーパー	3,570	2,850
短期借入金	-	1,354
1年以内返済予定の長期借入金	502	519

コアベース業績：定義の変更内容

2024年度から新たなコアベース業績の定義を導入



主な無形資産一覧(2024年3月末時点)

	円貨(億円)	外貨*
AT132	164	USD 109M
AT845	110	USD 73M
その他遺伝子治療関連プログラム**	575	USD 380M
遺伝子治療関連技術**	714	USD 472M
VEOZAH	941	EUR 556M
EVRENZO	43	-
VYLOY	640	EUR 493M
IZERVAY (米国)	7,306	USD 4,828M
IZERVAY (米国以外)	1,664	USD 1,100M

*VEOZAHおよびVYLOYの外貨数字は無形資産取得時の通貨に基づく参考値

**Audentes(現:Astellas Gene Therapies)買収時に取得

キャピタルアロケーション

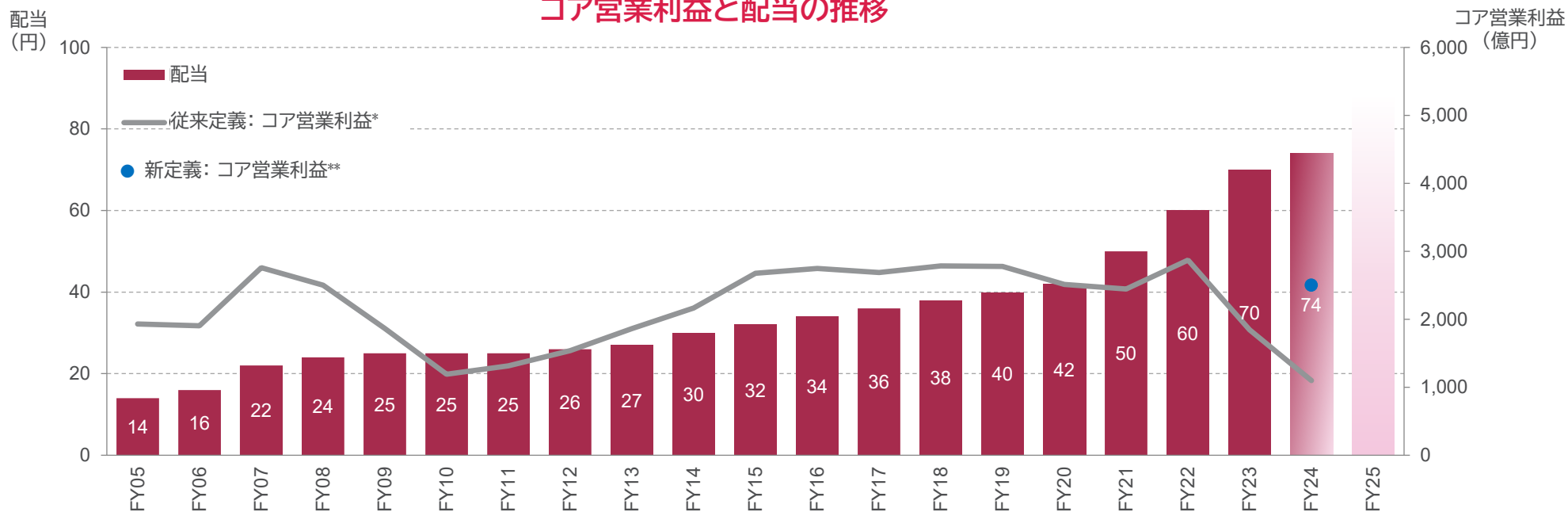
1 成長を実現するための
事業投資を最優先

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

**2024年度からコアベース業績の定義を変更

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

ASP1002

ASP1012

ASP2802

ASP7317

zocaglusagene nuzaparvovec/
AT845

ASP2016

ASP3082

ASP4396

アビラテロンデカン酸エステル/
PRL-02/ASP5541

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)

resamirigene bilparvovec/
AT132 (XLMTM)

avacincaptad pegol
(Stargardt病)

第III相

エンホルツマブ ベドチン
(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VMS:中国、日本;補助内分泌療法中の乳がん患者におけるVMS)

ロキサデュスタット
(慢性腎臓病に伴う貧血、小児:欧州)

ミラベグロン
(神経因性排尿筋過活動、小児:欧州)

申請

エンザルタミド
(M1 CSPC:中国)

エンホルツマブ ベドチン
(治療歴のないmUC:欧州、日本、中国;
治療歴のあるmUC:中国)

ゾルバツキシマブ
(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん:
米国、欧州、中国)

avacincaptad pegol
(地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性: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

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

36

第Ⅰ相入り

ASP2016

フリードライヒ運動失調症に伴う心筋症

ASP2802

B細胞リンパ腫

ASP4396

がん

第Ⅱ相入り

fezolinetant

補助内分泌療法中の乳がん患者における血管運動神経症状

第Ⅲ相入り

エンホルツマブ ベドチン

局所進行性または転移性尿路上皮がんの一次治療: 中国

申請

承認

エンザルタミド

サルベージ放射線療法が適応とならない生化学的再発のリスクが高い非転移性ホルモン感受性前立腺がん: 欧州

ゾルベツキシマブ

CLDN18.2陽性の治癒切除不能な進行・再発の胃癌: 日本

開発中止

ASP2074: がん (第Ⅰ相)

ASP0367: 原発性ミトコンドリアミオパチー (第Ⅱ相)、デュシェンヌ型筋ジストロフィー (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：ピーク時売上予想(2024年4月時点)

37

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
PADCEV (エンホルツマブ ベドチン) ¹	4,000 - 5,000
IZERVAY (avacincaptad pegol)	2,000 - 4,000
VEOZAH (fezolinetant)	1,500 - 2,500
XOSPATA (ギルテリチニブ)	1,000 - 2,000
VYLOY (ゾルベツキシマブ)	1,000 - 2,000
EVRENZO (ロキサデュスタット) ²	500 未満
AT132 (resamirigene bilparvovec)	500 未満

ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2024年4月時点)

1. アステラスの売上ではなく、全体の製品売上で算出(米州については、パートナーのPfizer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

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	・ 中国で適応追加の承認申請が2023年9月に受理
	M0 CSPC(生化学的再発高リスク)	・ 欧州で適応追加の承認を2024年4月に取得
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV	転移性尿路上皮がん	・ 治療歴なし(一次治療):欧州と日本で適応追加の承認申請が2024年1月に受理。中国で適応追加の承認申請が2024年3月に受理 ・ 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	・ 第Ⅲ相試験進行中
	筋層非浸潤性膀胱がん	・ 第Ⅰ相試験進行中
	その他の種類の固形がん	・ 第Ⅱ相試験進行中
ギルテリチニブ/ XOSPATA	再発または難治性 AML	・ 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)	・ 第Ⅲ相MORPHO試験に基づく開発を中止
	未治療AML(強力な化学療法適応)	・ 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	未治療AML(強力な化学療法不適応)	・ 第Ⅰ相試験進行中
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	AML(化学療法後の維持療法)	・ 第Ⅱ相GOSSAMER試験のトップライン結果を入手
	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん 膵臓腺がん	・ 欧州、中国で承認申請が2023年7月に受理。米国で審査完了報告通知を2024年1月に受領。日本で2024年3月に承認取得 ・ 第Ⅱ相試験進行中
fezolinetant/ VEOZAH	閉経に伴う血管運動神経症状	・ 中国:第Ⅲ相MOONLIGHT 1試験およびMOONLIGHT 3試験のトップライン結果を入手 ・ 日本:第Ⅲ相STARLIGHT 2試験およびSTARLIGHT 3試験のFSFTを2024年3月と2月にそれぞれ達成
	補助内分泌療法中の乳がん患者における血管運動神経症状	・ 第Ⅲ相試験を2024年度2Qに開始予定
avacincaptad pegol/ IZERVAY	地図上萎縮を伴う加齢黄斑変性	・ 欧州で承認申請が2023年8月に受理。米国でラベル改訂の承認申請が2024年3月に受理
	Stargardt病	・ 第Ⅱb相試験進行中

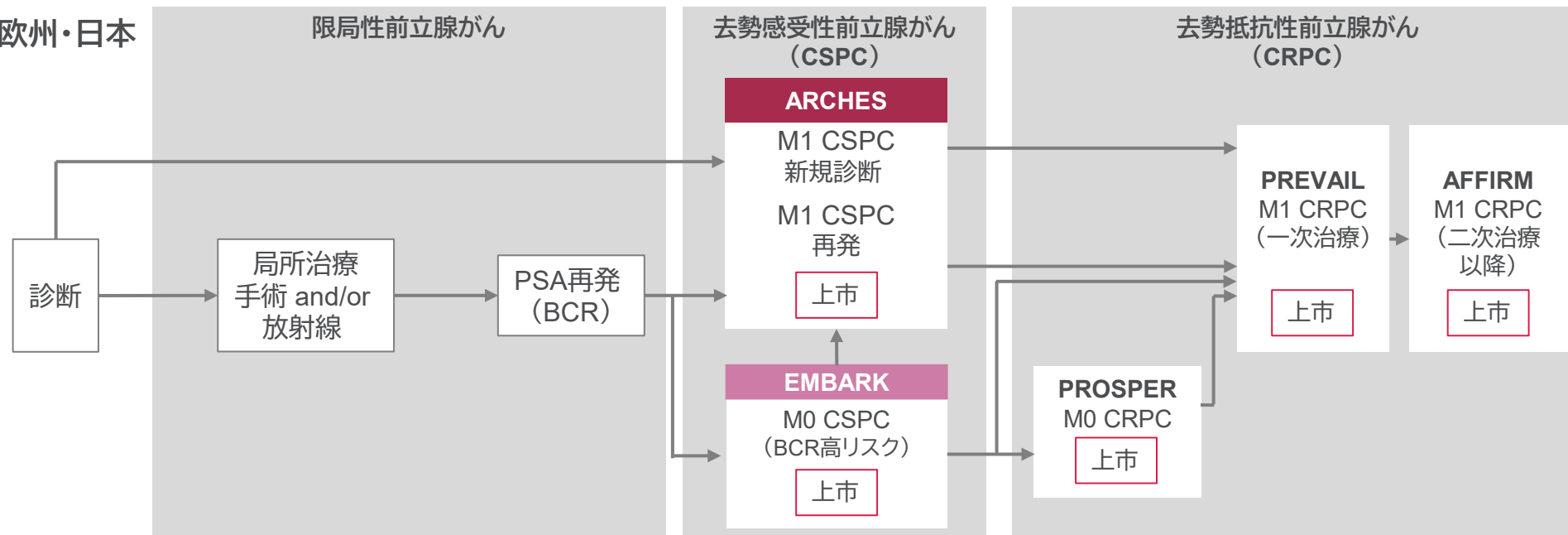
VEOZAH:欧州ではVEOZAの製品名で承認取得

M1:転移性、CSPC:去勢感受性前立腺がん、M0:非転移性、AML:急性骨髄性白血病、FSFT:最初の症例への投与

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11月に米国で適応追加の承認を取得
2024年4月に欧州で適応追加の承認を取得

中国 • M1 CSPC: 2023年9月に適応追加の承認申請が受理

エンザルタミド(2/2): 病期別第Ⅲ相試験データ

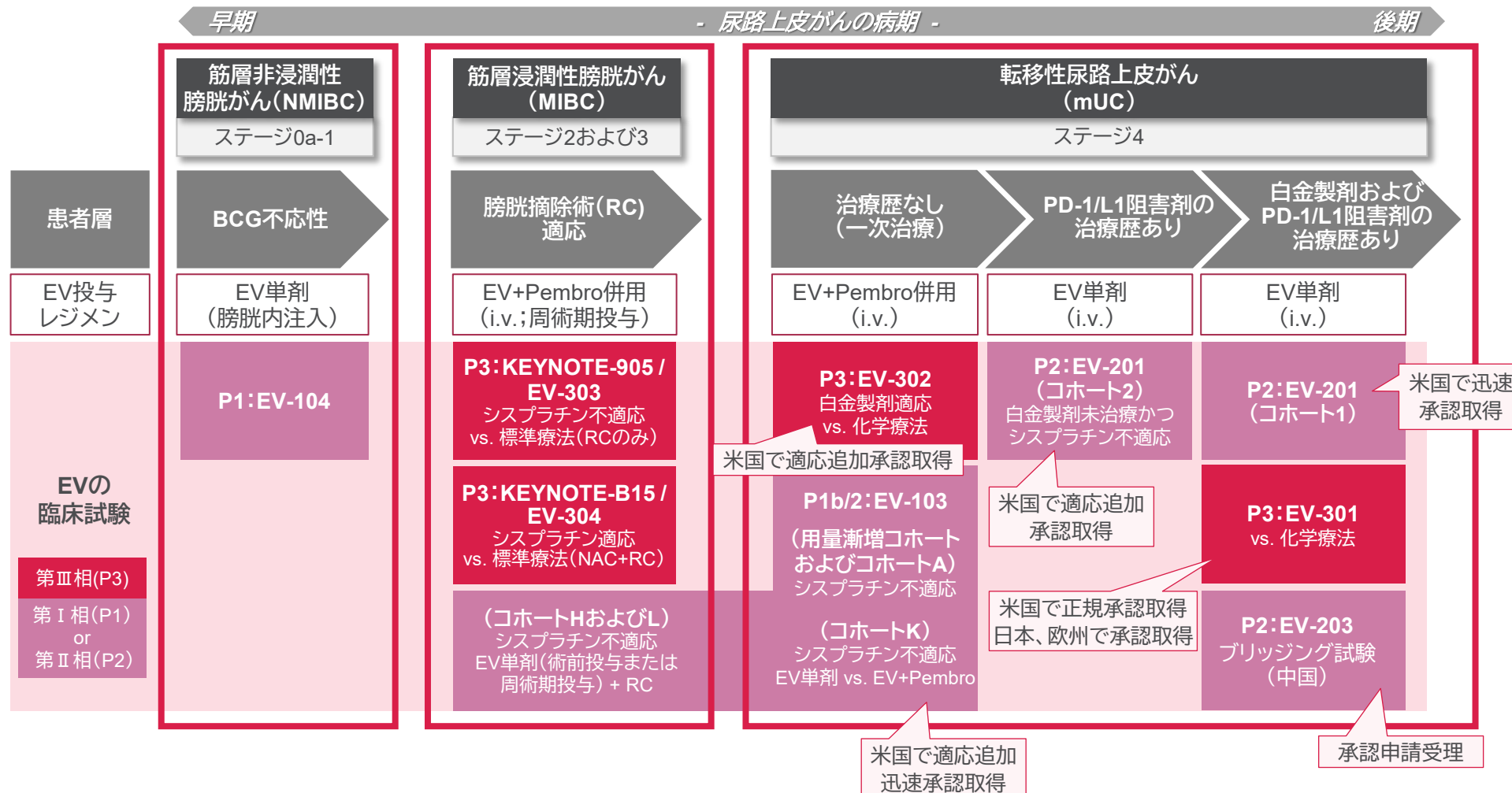
早期前立腺がんにおいても薬効を示す

- ✓ 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 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	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	2023年12月に米国で適応追加の承認取得 2024年1月に欧州と日本で適応追加の承認申請が受理 2024年3月に中国で適応追加の承認申請が受理
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	症例組み入れ終了
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月に米国で適応追加の承認取得
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月に米国で適応追加の 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、食道胃 接合部腺がんを含む胃および食道腺がん、食道扁平上皮がん; EV単剤 頭頸部扁平上皮がん; EV + Pembro	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

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:HR 0.45 ✓ OS:HR 0.47	✓ 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)	✓ HR 0.47 (31.5カ月 vs.16.1カ月)	(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)	✓ HR 0.45 (12.5カ月 vs.6.3カ月)	(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)	✓ 67.7% vs. 44.4% (CR 29.1% vs. 12.5%)	✓ 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

- 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/開発後期段階> (ピーク時売上予想に織込済)

患者層		ピボタル試験 (EV用法)	申請目標時期	対象患者数*
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)	承認取得済 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 (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> (ピーク時売上予想に未織込)

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**)

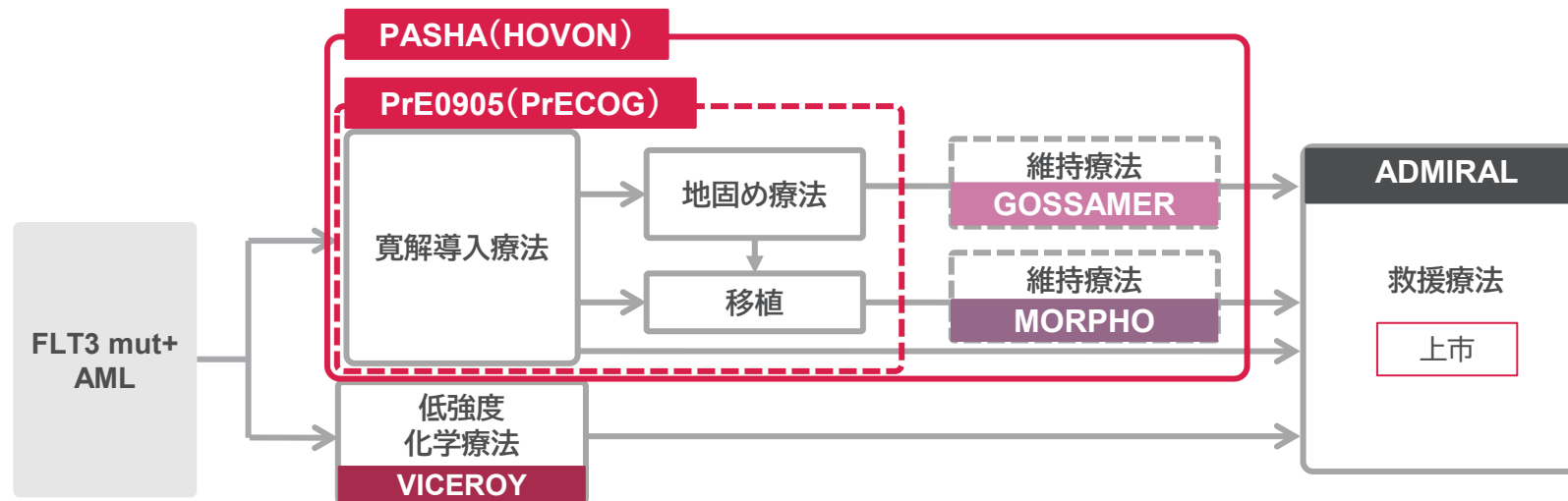
*単剤:

- ・ 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
- ・ 食道胃接合部腺がんを含む胃および食道腺がん
- ・ 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



再発または難治性	第Ⅲ相:ADMIRAL	NCT02421939	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)	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=766	症例組み入れ終了(治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	NCT03836209		n=179	症例組み入れ終了(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	MORPHO試験に基づく開発を中止
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/Ⅱ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

(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
- SPOTLIGHT試験およびGLOW試験において、スクリーニングされた患者の約38%が、Claudin 18.2陽性と判定

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	2023年7月に欧州および中国で承認申請が受理 2024年1月に米国で審査完了報告通知を受領 2024年3月に日本で承認を取得
	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	
	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 コホート5: 周術期、FLOTとの併用	n=143	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	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)	n=527	2023年5月に米国で承認取得 2023年12月に欧州で承認取得
第Ⅲ相:SKYLIGHT 2	NCT04003142	40週:実薬継続投与、30 mg または 45 mg	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	2023年6月にトップライン結果を入手

中国

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)
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

第Ⅲ相:STARLIGHT 2	NCT06206408	閉経に伴う軽度から重度のVMSを有する患者 12週:二重盲検、2用量 vs. プラセボ(1:1:1)	n=390	FSFT:2024年3月
第Ⅲ相:STARLIGHT 3	NCT06206421	閉経に伴うVMSを有する患者 52週:二重盲検、vs. プラセボ(1:1)	n=260	FSFT:2024年2月

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

(赤字: 前回の決算発表以降の進捗)

地図状萎縮(Geographic Atrophy: GA)

- 萎縮型加齢黄斑変性の進行に伴い発症
- 全世界で約500万人が少なくとも片目にGAを発症¹
- 米国でGAを患っている人の約75%は未診断²
- 適切なタイミングでの治療がなければ、GA患者の推定66%が失明または重度の視覚障害になる可能性³

ACPの特徴

- PEG化RNAアプタマー(化学合成品)
- 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

地図状萎縮を伴う 加齢黄斑変性	第Ⅱ/Ⅲ相: GATHER1	NCT02686658	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8月に欧州で承認申請が受理 2024年3月に米国でラベル改訂の承認 申請が受理
	第Ⅲ相: GATHER2	NCT04435366	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	NCT03364153	vs. 対照群	n=120	FSFT: Jan 2018

1. Retina 37:819-835 (2017). 2. IQVIA Medical Claims (DX) data Jan '20-Dec '21: 24 Months. 3. JAMA Ophthalmol 139:743-750 (2021)

PEG: ポリエチレングリコール、FSFT: 最初の症例への投与

変化する医療の最先端へ

