

2024年度第2四半期(中間期)決算概況



2024年10月30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ことや、開発中の用途で上市されることを保証するものでもありません。

本日の内容

I

2024年度第2四半期 連結業績
2024年度通期業績 修正予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

III

中期的な取り組みと最新の見通し

2024年度第2四半期決算：概要

売上収益

- 前年同期比で大きく増加(+22%)
- 重点戦略製品：**1,500億円**以上に拡大、対前同で**+900億円**以上と想定を上回る成長

販管費*

- ROIを意識した投資の継続的な見直しにより、販管費率が対前同で**3.2ppt改善**

コア営業利益

- XTANDIおよび重点戦略製品の拡大と継続した費用管理により、前年同期比で大きく増加(+36%)

通期予想の修正

- 好調な2Q進捗を踏まえ、売上収益およびコア営業利益を**上方修正**
 - ✓ 期初の減益予想から**増益予想へ転換**

2024年度第2四半期業績

(億円)	2023年度 2Q(4-9月)	2024年度 2Q(4-9月)	増減額	増減率	2024年度 期初予想	為替の影響(前年同期比)
売上収益	7,671	9,356	+1,685	+22.0%	16,500	+548
売上原価	1,434	1,738	+305	+21.3%	3,260	+67
販管費	3,475	4,064	+589	+17.0%	7,570	+259
内、米国XTANDI共同販促費用	930	1,260	+330	+35.5%	1,890	+95
上記を除く販管費	2,544	2,804	+260	+10.2%	5,680	+164
(販管費率*)	33.2%	30.0%	-3.2ppt		34.4%	
研究開発費	1,419	1,723	+304	+21.4%	3,170	+85
(研究開発費率)	18.5%	18.4%	-0.1ppt		19.2%	
コア営業利益**	1,344	1,831	+487	+36.2%	2,500	+137
(コア営業利益率)	17.5%	19.6%	+2.0ppt		15.2%	

<フルベース>

無形資産償却費	337	692	+355	+105.2%		2023年度2QからIZERVAYの 無形資産償却を開始
その他の収益	71	45	-26	-36.9%		主なその他の費用(2Q計上分)
その他の費用	617	269	-348	-56.4%		• 為替差損:122
営業利益	552	937	+386	+69.9%	480	
税引前中間利益	563	890	+327	+58.1%	430	
中間利益	358	735	+377	+105.3%	300	

期初予想は2024年4月公表。期初予想の為替レート:1ドル145円、1ユーロ155円。2024年度2Q(4-9月)の為替レート(実績):1ドル152円、1ユーロ166円

*米国XTANDI共同販促費用を除く

**2024年度からコアベース業績の定義を変更。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

2024年度第2四半期業績：XTANDIおよび重点戦略製品

XTANDIは引き続き米国が牽引し、グローバル売上は好調に推移

(億円)	2Q実績(4-9月)	前年同期比	期初予想*	修正予想	
 Xtandi®	4,517	+907 (+25%)	7,570	8,597 対期初 (+1,027)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 米国は引き続きEMBARKの適応症(M0 CSPC)とその波及効果、市場成長が貢献 ✓ 米国のIRAメディケアパートD再設計のマイナス影響(\$80-100M)を4Qに見込むも、2Qまでの好調な状況や最新の見通しを踏まえ、通期予想を上方修正

重点戦略製品は計1,500億円以上に拡大(対前同+900億円)。力強い進捗を反映し、通期予想を上方修正(+400億円)

(億円)	2Q実績(4-9月)	前年同期比	期初予想*	修正予想	
 PADCEV™	754	+427 (+131%)	1,512	1,669 (+157)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 米国やESTを中心に、グローバル売上は前年同期から大きく拡大 ✓ グローバル全体の好調な成長トレンドを踏まえ、通期予想を上方修正
 izervay™	281	+269	464	695 (+231)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 期初予想を大きく上回る進捗、想定以上の新規患者シェアが貢献 ✓ 好調な状況や最新の見通しを踏まえ、通期予想を大幅に上方修正
 VEOZAH™	148	+135	283	316 (+33)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は着実に拡大。引き続きROIを意識した活動を展開 ✓ 米国やESTの物量拡大トレンドを反映し、通期予想を上方修正
 VYLOY™	12	+12	37	51 (+14)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 日本におけるCLDN18.2検査が想定を上回るスピードで市場に浸透 3Q以降は米国やESTの売上貢献も見込む ✓ 日本の好調な状況と見通しを反映し、通期予想を上方修正
 XOSPATA®	348	+85 (+32%)	600	647 (+47)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は期初予想を上回る推移 FLT3検査率の向上が米国の物量増加に貢献 ✓ 好調な進捗を反映し、通期予想を上方修正

*2024年4月公表。期初予想の為替レート：1ドル145円、1ユーロ155円。修正予想の為替レート：1ドル149円、1ユーロ160円(3Q以降の想定：1ドル145円、1ユーロ155円)

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、ROI(Return On Investment):投資利益率、CLDN18.2: Claudin 18.2

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得、EST(エスタブリッシュドマーケット):欧州、カナダ等

PADCEVのビジネスアップデート



グローバル売上は大きく拡大、今後も引き続き力強い成長を見込む

	2Q実績(4-9月)	前年同期比	期初予想*	修正予想
グローバル売上	754 億円	+427 (+131%)	1,512	1,669 (+157) ^{対期初}
米国 (\$ベース)	\$349M	+186 (+114%)	742	767 (+25)
EST (€ベース)	€90M	+57 (+171%)	182	200 (+18)
日本・CN・INT	72 億円	+27 (+158%)	155	208 (+53)

グローバル全体の状況と見通し

- ✓ 発売国: 39カ国 (1L mUC承認国: 11カ国)
- ✓ グローバル売上は前年同期から2倍以上拡大、進捗も好調に推移
- ✓ 好調な成長トレンドを反映し、通期予想を上方修正
- ✓ 地域ごとに異なる成長率を想定するも、グローバル全体では引き続き力強い成長を見込む

地域別の状況

- **米国:** 1L mUCは引き続き着実に浸透、新規患者シェアは55%に迫る水準
今後は緩やかながらも、安定した成長を見込む
- **EST:** 8月に1L mUC追加適応の承認取得、立ち上がりは良好
更なる売上成長を期待
- **日本:** 9月に1L mUC追加適応の承認取得、3Q以降の売上貢献を見込む
- **CN:** 8月に承認取得(2L+ mUC)、1L mUCの承認はCY2025前半を見込む
- **INT:** 複数国で1L mUC追加適応を承認取得、売上拡大に貢献
3Q以降は更なる2L+ mUCの発売国と1L mUCの承認国を見込む

今後の成長ドライバー

- ✓ 2025年度は米国以外の1L mUCの本格的な売上貢献を見込む
- ✓ その後の成長ドライバーはMIBCの追加適応
2025年度にTLRを見込み、承認取得後の貢献に期待

*2024年4月公表。期初予想の為替レート: 1ドル145円、1ユーロ155円。修正予想の為替レート: 1ドル149円、1ユーロ160円(3Q以降の想定: 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、2L+: 二次治療以降、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、TLR: トップライン結果、EST(エスタブリッシュドマーケット): 欧州、カナダ等、CN(チャイナ): 中国、香港、INT(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、台湾、オーストラリア、輸出売上等

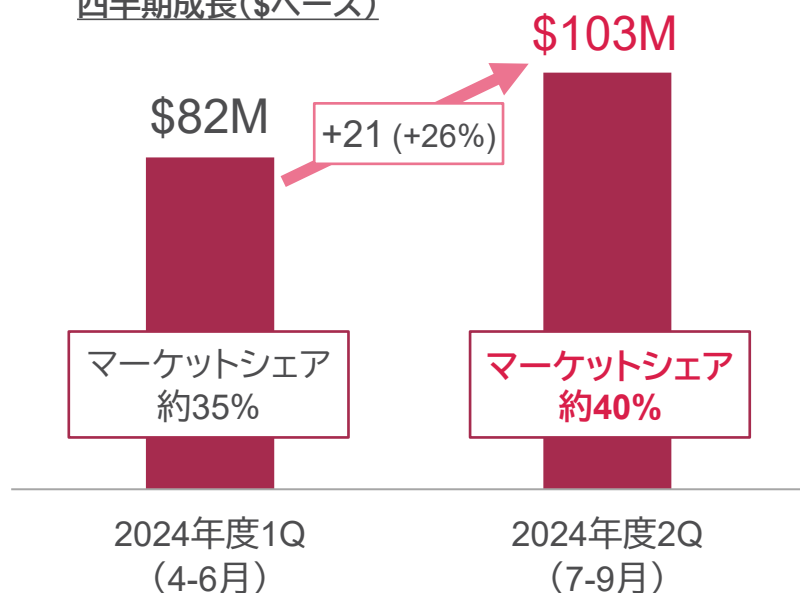
IZERVAYのビジネスアップデート(米国)



引き続き期待を上回る進捗、3Q以降も更なる売上拡大を見込む。通期予想を大幅に上方修正

	2Q実績(4-9月)	前年同期比	期初予想*	修正予想
	281 億円	+269	464	695 <small>対期初</small> (+231)
\$ベース	\$184M	+176	318	467 (+149)

四半期成長(\$ベース)



2Qまでの進捗

- ✓ 引き続き進捗は期待以上、想定を上回る新規患者シェアが貢献
- ✓ 2Q単体(7-9月)のマーケットシェアは約40%、新規患者シェアは約60%と推定
- ✓ 発売から**14.3万以上**のバイアルを出荷(2Q時点、臨床試験用を除く)
- ✓ 1,300以上の専門施設で採用
- ✓ 市販後の安全性プロファイルは、引き続きこれまでの臨床試験で得られた結果と同等

DTC活動

- ✓ 9月30日からTVやソーシャルメディアを含む主要チャンネルで新たなキャンペーンを展開
- ✓ GAの認知を高め、IZERVAYによる早期治療の重要性を訴求



今後の見通し

- ✓ 3Q以降はDTC活動による市場の拡大を見込み、2024年度末までにマーケットシェア50%を目指す
- ✓ 好調な進捗と最新の見通しを踏まえ、通期予想を大幅に上方修正(+ \$149M)

*2024年4月公表。期初予想の為替レート:1ドル145円、1ユーロ155円。修正予想の為替レート:1ドル149円、1ユーロ160円(3Q以降の想定:1ドル145円、1ユーロ155円)

DTC: Direct-to-consumer、GA(Geographic Atrophy):地図状萎縮

2024年度第2四半期業績：販管費および研究開発費

ROIを意識した投資の継続的な見直しにより、販管費率が対前同で3.2ppt改善

コアベース：前年同期比較と対売上収益比率

費用項目	前年同期比	対売上収益比率	(億円)
販管費 米国XTANDI共同 販促費用を除く	10.2%増加 (為替の影響を 除くと3.8%増加)	販管費率:30.0% (前同 -3.2ppt)	為替の影響を除く対前同: 約+100 ✓ 重点戦略製品(主にIZERVAY)の販促費用(対前同: 約+190) ✓ 成熟製品の費用削減(対前同: 約-60) ✓ 前年度実施したグローバル組織改革(対前同: 約-50)
研究開発費	21.4%増加 (為替の影響を 除くと15.4%増加)	研究開発費率:18.4% (前同 -0.1ppt)	為替の影響を除く対前同: 約+220 ✓ Primary FocusやR&D機能強化(対前同: 約+130) ✓ 1Qで発生した一過性の共同開発費用支払い

2024年度通期業績予想：修正予想

- 好調な2Q進捗を踏まえ、売上収益およびコア営業利益を上方修正
- 期初の減益予想から増益予想へ転換

通期業績修正予想の為替レート：1ドル149円、1ユーロ160円
(3Q以降の想定：1ドル145円、1ユーロ155円)

(億円)	2023年度 実績	2024年度			主な修正項目
		期初予想	修正予想	差異	
売上収益	16,037	16,500	18,000	+1,500	<ul style="list-style-type: none"> ● 為替の影響：約+300 ● XTANDIおよび重点戦略製品：約+1,200
販管費	7,401	7,570	8,230	+660	
内、米国XTANDI共同販促費用	1,949	1,890	2,290	+400	<ul style="list-style-type: none"> ● 為替の影響：約+150
上記を除く販管費	5,452	5,680	5,940	+260	<ul style="list-style-type: none"> ● Pharma feeの増加(米国)等
(販管费率*)	34.0%	34.4%	33.0%	-1.4ppt	
研究開発費	2,942	3,170	3,410	+240	<ul style="list-style-type: none"> ● 為替の影響：約+50 ● VYLOY(膵臓がん)とVEOZAH(日本)の患者組入れが想定を上回る進捗
(研究開発费率)	18.3%	19.2%	18.9%	-0.3ppt	
コア営業利益**	2,769	2,500	3,000	+500	<ul style="list-style-type: none"> ● 為替の影響：約+70
(コア営業利益率)	17.3%	15.2%	16.7%	+1.5ppt	

<フルベース>

営業利益	255	480	800	+320
------	-----	-----	-----	------

期初予想は2024年4月公表。期初予想の為替レート：1ドル145円、1ユーロ155円

*米国XTANDI共同販促費用を除く

**2024年度からコアベース業績の定義を変更。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

本日の内容

I
2024年度第2四半期 連結業績
2024年度通期業績 修正予想

II
持続的な成長に向けた取り組み

III
中期的な取り組みと最新の見通し

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

12

重点戦略製品

- エンホルツマブ ベドチン / PADCEV : 1L mUC適応追加承認(欧州、日本)、2L+ mUC適応追加承認(中国)
- ゴルベツキシマブ / VYLOY : 承認(欧州、米国)
- avacincaptad pegol / IZERVAY : 販売承認申請取り下げ(欧州)
- fezolinetant / VEOZAH : 追加適応第Ⅲ相試験開始

Focus Areaアプローチ

- データ発表 : ASP3082(標的タンパク質分解誘導)、ASP1570(がん免疫)
- 最初の症例への投与 : ASP5502(免疫ホメオスタシス)
- 提携 : AviadoBio(遺伝子治療)

Rx+プログラム

- DIGITIVA(心不全管理を目的としたデジタルヘルス) : FDA認証取得、パイロット販売準備中
- 低活動膀胱を対象とした体内埋め込み型医療機器(iota Biosciences) : 早期フィージビリティ試験のIDEがFDA承認取得

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得。AviadoBioとの提携の概要はスライド33参照

1L:一次治療、mUC:転移性尿路上皮がん、2L+:二次治療以降、FDA:米国食品医薬品局、IDE:Investigational Device Exemption

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

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)
エンザルタミド/ XTANDI	★ 6月 承認(M1 CSPC:中国)			
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		★ 8月 承認(2L+ mUC:中国、1L mUC:欧州)	★ 9月 承認(1L mUC:日本)	
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	★ 5月 再申請受理(米国)		★ 10月 承認(米国)	<div style="background-color: #c00000; color: white; padding: 5px; text-align: center;"> 当局判断 (中国) </div> <div style="background-color: #e91e63; color: white; padding: 5px; text-align: center;"> TLR* (膵腺がん) </div>
avacincaptad pegol/ IZERVAY		販売承認申請 取り下げ(欧州)	★ 10月	<div style="background-color: #c00000; color: white; padding: 5px; text-align: center;"> 当局判断 </div> <div style="background-color: #e91e63; color: white; padding: 5px; text-align: center;"> データ判明 </div>

<その他のアップデート>

- fezolinetant / VEOZAH: 2024年8月に補助内分泌療法中の乳がん患者におけるVMSを評価する第Ⅲ相試験(HIGHLIGHT 1)において最初の症例への投与

2024年10月時点。VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

*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、VMS:血管運動神経症状

Focus Areaアプローチの進展：臨床試験段階プログラムの現況

(青字: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	プログラム	作用機序	現況
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 初期データを2024年9月のESMOで発表
	二重特異性免疫細胞誘導	★ASP2138 ●	抗CLDN18.2/抗CD3	第 I 相試験進行中
		ASP1002 ●	抗CLDN4/抗CD137	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 相試験進行中
がん細胞医療	ASP2802 ●	CD20 convertible CAR-T(自家細胞)	第 I 相試験を2024年度3Qに開始予定	
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 初期データを2024年9月のESMOで発表(資料リンク)
		ASP4396 ●	KRAS G12D分解	第 I 相試験進行中
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 FDAから希少小児疾患指定を2024年8月に、希少疾病用医薬品指定を2024年9月に取得
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
免疫ホメオスタシス(PF候補)	免疫調節	ASP5502 ●	STING阻害剤	第 I 相試験の最初の症例への投与を2024年9月に達成
その他(PF以外)	アビラテロン長時間作用型プロドラッグ	ASP5541 (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

★:フラッグシッププログラム(概要はスライド31-32参照)

本日の内容

I

2024年度第2四半期 連結業績
2024年度通期業績 修正予想

II

持続的な成長に向けた取り組み

III

中期的な取り組みと最新の見通し

中期的な取り組みの概要

3つの全社的な優先事項を加速させ、XTANDI LOEを乗り越えて更なる成長を目指す

良好な2Q進捗

- 重点戦略製品の力強い成長
(対前同で+900億円以上)
- ASP3082の有望な初期データ
を入手
- 販管費率*が対前同で3.2ppt
改善

コア営業利益率

16.7%

約3,400
億円

約3,000
億円

20%台前半

約5,000
億円

PADCEV

izervay

VEOZAH

VYLOY

XOSPATA

30%

目指すべき姿

3つの全社的な優先事項

Sustainable Margin Transformation

- XTANDI LOEまでに全社レベルで
コスト最適化を追求
- 更なる成長投資に向けたリソースを捻出すると
ともに、収益性の向上も目指す

Growth Strategy

- 製品軸での新たなオペレーティングモデルで、
製品ポテンシャルの最大化を図る
- アジャイルな働き方により、迅速な意思決定を
促進する

Bold Ambition

- アジャイルなR&D組織体制で、創薬段階から
PoC見極め、新規アセット獲得等を加速する
- 臨床試験の遂行、データドリブンの意思決定に
必要な自社ケイパビリティを強化する

PFフラッグシッププログラムのPoC見極め

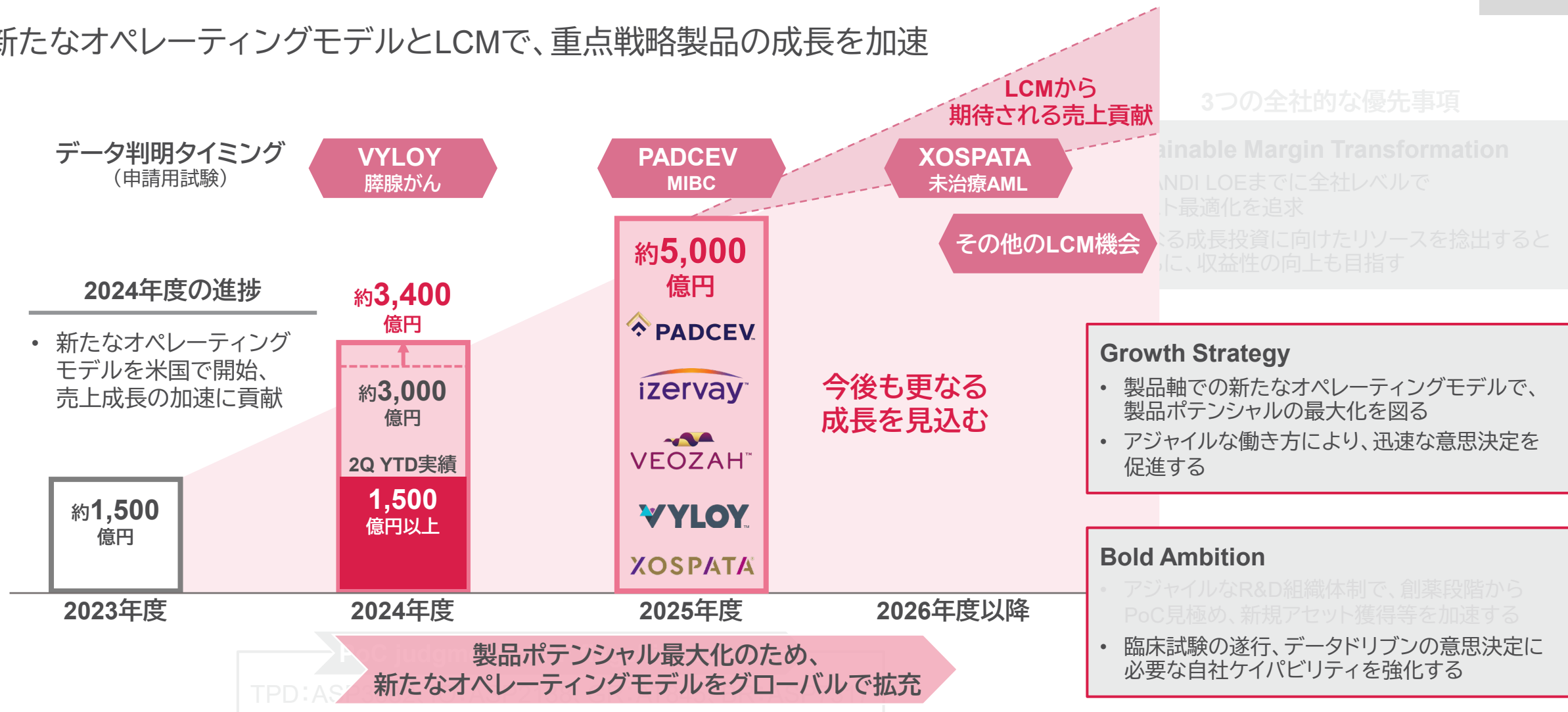
TPD:ASP3082、IO:ASP2138、GR:AT845、BR:ASP7317

*米国XTANDI共同販促費用を除く

LOE:独占販売期間満了、PF:Primary Focus、PoC:コンセプト検証、TPD(Targeted Protein Degradation):標的タンパク質分解誘導、IO(Immuno-Oncology):がん免疫、GR(Genetic Regulation):遺伝子治療、BR(Blindness & Regeneration):再生と視力の維持・回復

重点戦略製品のポテンシャル最大化

新たなオペレーティングモデルとLCMで、重点戦略製品の成長を加速



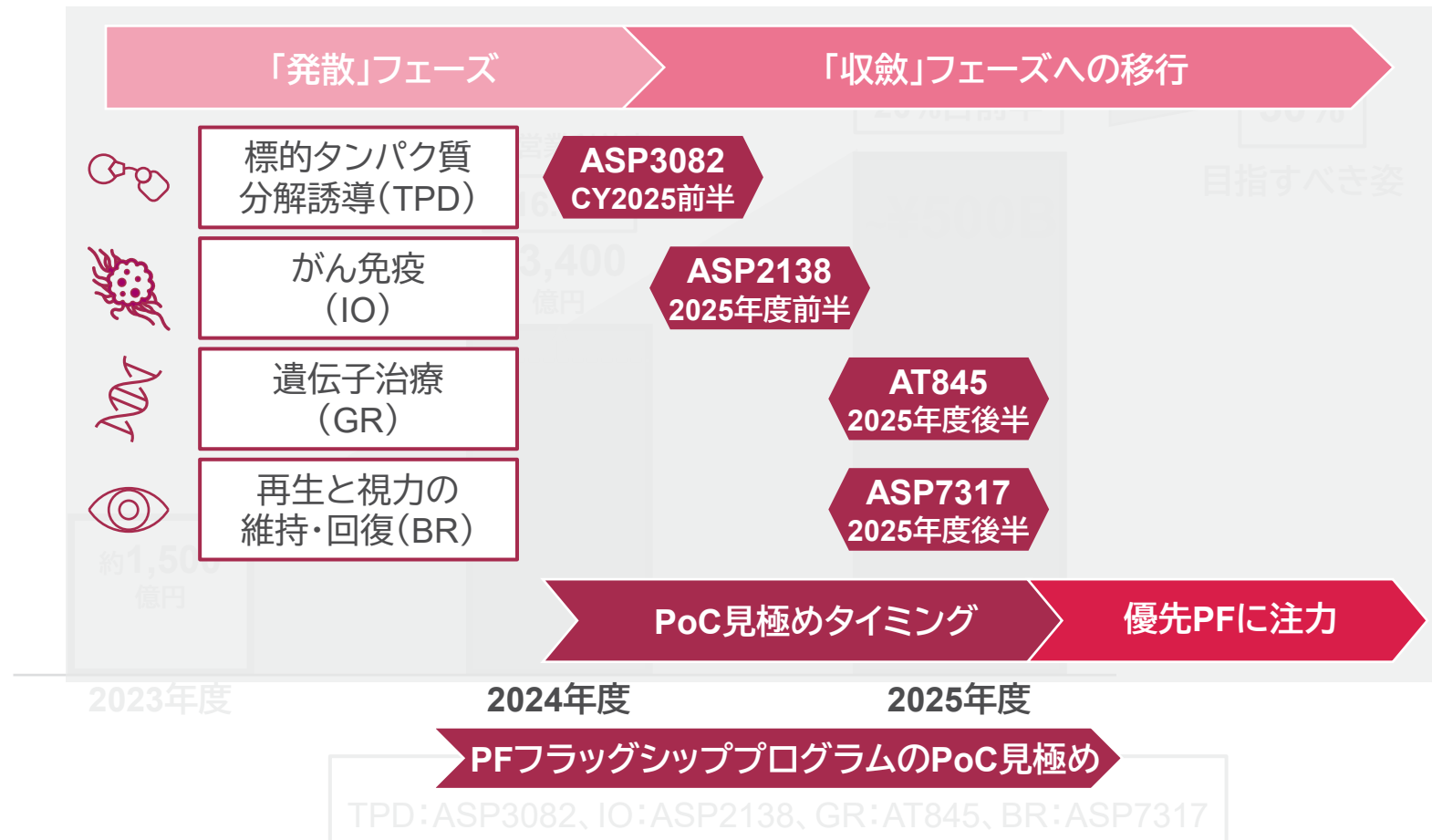
LCMの取り組みの詳細はスライド30参照

LCM: ライフサイクルマネジメント、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、AML: 急性骨髄性白血病

Focus Areaアプローチの推進

- フラッグシッププログラムのPoCを見極め、優先Primary Focusに注力してパイプライン価値を向上
- フロンティアでの探索研究は規律を持って継続し、将来成長に向けた新規プログラムを創出

5つの全社的な優先事項



Sustainable Margin Transformation

- ・ XTANDI LOEまでに全社レベルでコスト最適化を追求
- ・ 更なる成長投資に向けたリソースを捻出するとともに、収益性の向上も目指す

2030年代に 売上貢献を期待

- ・ 製品軸での新たなオペレーティングモデルで、製品ポテンシャルの最大化を図る
- ・ アジャイルな働き方により、迅速な意思決定を促進する

Bold Ambition

- ・ アジャイルなR&D組織体制で、創薬段階からPoC見極め、新規アセット獲得等を加速する
- ・ 臨床試験の遂行、データドリブンの意思決定に必要な自社ケイパビリティを強化する

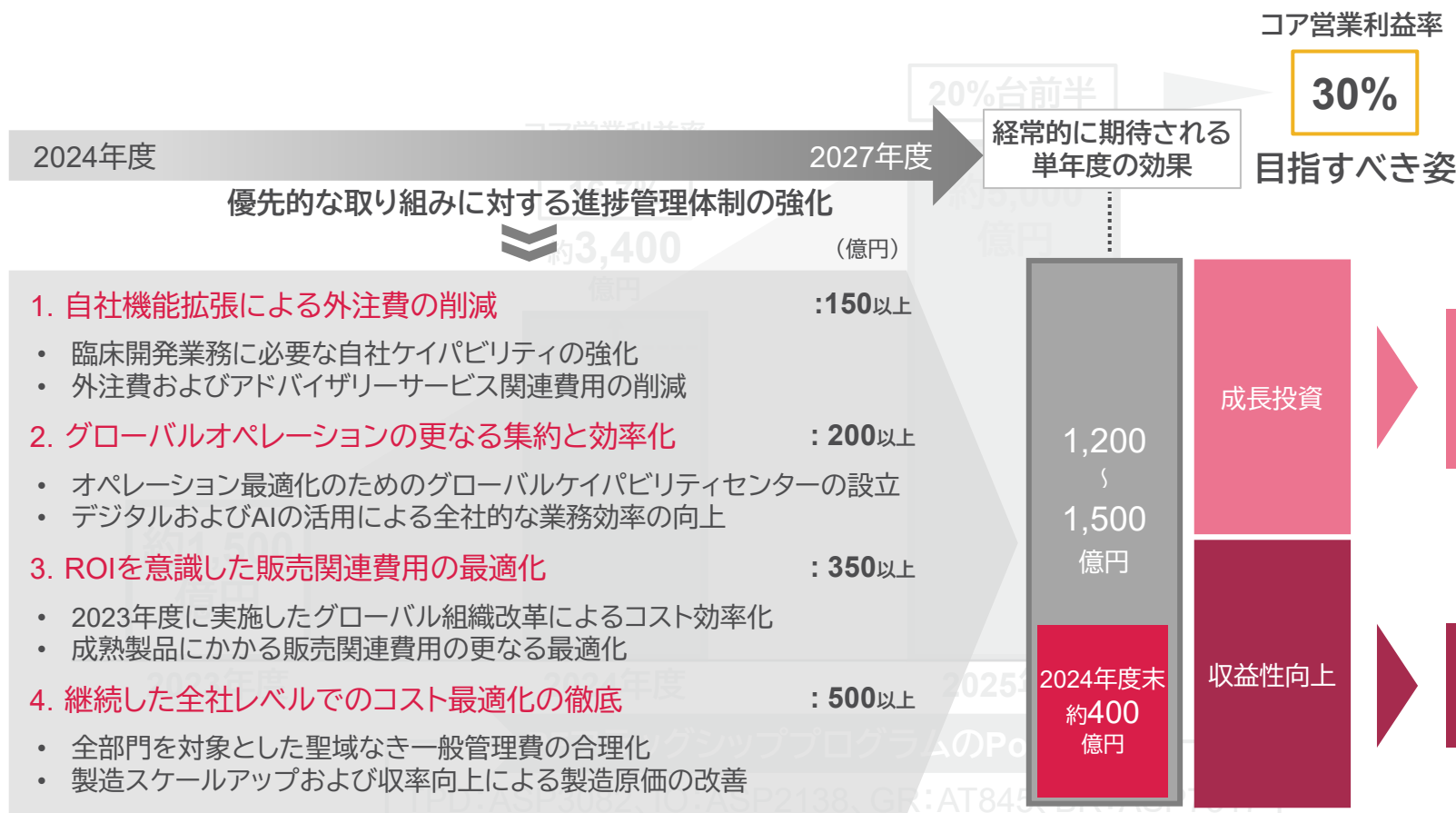
Sustainable Margin Transformation

- XTANDI LOEまでに全社レベルで1,200~1,500億円のコスト最適化を追求
- 更なる成長投資に向けたリソースを捻出するとともに、収益性の向上も目指す

3つの全社的な優先事項

Sustainable Margin Transformation

- XTANDI LOEまでに全社レベルでコスト最適化を追求
- 更なる成長投資に向けたリソースを捻出するとともに、収益性の向上も目指す



- 1. 自社機能拡張による外注費の削減** :150以上
 - 臨床開発業務に必要な自社ケイパビリティの強化
 - 外注費およびアドバイザリーサービス関連費用の削減
- 2. グローバルオペレーションの更なる集約と効率化** : 200以上
 - オペレーション最適化のためのグローバルケイパビリティセンターの設立
 - デジタルおよびAIの活用による全社的な業務効率の向上
- 3. ROIを意識した販売関連費用の最適化** : 350以上
 - 2023年度に実施したグローバル組織改革によるコスト効率化
 - 成熟製品にかかる販売関連費用の更なる最適化
- 4. 継続した全社レベルでのコスト最適化の徹底** : 500以上
 - 全部門を対象とした聖域なき一般管理費の合理化
 - 製造スケールアップおよび収率向上による製造原価の改善

重点戦略製品のポテンシャル最大化

PoC取得後の優先PFに注力

促進する

Bold Ambition

XTANDI LOEを迎えるまでに

コスト構造の最適化に注力

必要な自社ケイパビリティを強化する

LOE:独占販売期間満了、ROI(Return On Investment):投資利益率、PoC:コンセプト検証、PF:Primary Focus

XTANDI LOEを乗り越え、更なる成長へ

重点戦略製品のポテンシャルを最大化、LCMの推進で更なる成長を加速

16.7%

約5,000

- 更なる成長投資に向けたリソースを捻出するとともに、収益性の向上も目指す

フラッグシッププログラムのPoCを見極め、優先Primary Focusに注力してパイプライン価値を向上

- アジャイルな働き方により、迅速な意思決定を

更なる成長投資と収益性の向上に向けて、Sustainable Margin Transformationを追求

- アジャイルなR&D組織体制で、創薬段階からPoC見極め、新規アセット獲得等を加速する
- 臨床試験の遂行、データドリブンの意思決定に必要な自社ケイパビリティを強化する

2023年度


2024年度

2025年度

PFフラッグシッププログラムのPoC見極め

TPD:ASP3082、IO:ASP2138、GR:AT845、BR:ASP7317

參考資料



XTANDIおよび重点戦略製品：ピーク時売上予想(2024年10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
PADCEV (エンホルツマブ ベドチン) [*]	4,000 - 5,000
IZERVAY (avacincaptad pegol)	2,000 - 4,000
VEOZAH (fezolinetant)	1,500 - 2,500
VYLOY (ゾルベツキシマブ)	1,000 - 2,000
XOSPATA (ギルテリチニブ)	1,000 - 2,000

ピボタル試験を実施中の適応症に限る(2024年10月時点)、VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

*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)

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2023年度2Q(4-9月)	2024年度2Q(4-9月)	変動
ドル	141円	152円	11円安
ユーロ	153円	166円	12円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益:548億円の増加
- コア営業利益:137億円の増加

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）	2024年度 期初予想	2024年度 修正予想	変動
ドル	145円	149円	4円安
ユーロ	155円	160円	5円安

3Q以降の為替レートの想定：1ドル145円、1ユーロ155円

修正予想前提と比較して1円安となった場合の業績(3Q以降)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35億円増加	約5億円増加
ユーロ	約16億円増加	約7億円増加

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)	2024年3月末	2024年9月末
総資産	35,696	34,622
現金及び現金同等物	3,357	2,930
親会社所有者帰属持分	15,960	15,298
親会社所有者帰属持分比率(%)	44.7%	44.2%
(億円)	2023年度2Q(4-9月)	2024年度2Q(4-9月)
営業CF	532	774
投資CF	-7,875	-557
フリーCF	-7,342	217
財務CF	6,702	-663
短期借入金及びコマーシャル・ペーパーの増減額	2,749	-1,599
社債の発行及び長期借入れによる収入	4,705	2,000
社債の償還及び長期借入金の返済による支出	-	-260
自己株式取得	-107	-70
配当金支払額	-539	-628

資金調達残高のハイライト

(億円)	2024年6月末	2024年9月末
資金調達残高	9,927	9,275
非流動負債	4,431	6,202
社債	2,500	3,500
長期借入金	1,931	2,702
流動負債	5,496	3,073
コマーシャル・ペーパー	3,257	1,648
短期借入金	1,704	918
1年以内返済予定の長期借入金	535	506

主な無形資産一覧(2024年9月末時点)

	円貨(億円)	外貨*
AT132	156	\$109M
AT845	104	\$73M
その他遺伝子治療関連プログラム**	551	\$384M
遺伝子治療関連技術**	646	\$450M
VEOZAH	868	€535M
VYLOY	623	€480M
IZERVAY (米国)	6,497	\$4,523M
IZERVAY (米国外)	1,580	\$1,100M

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

*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

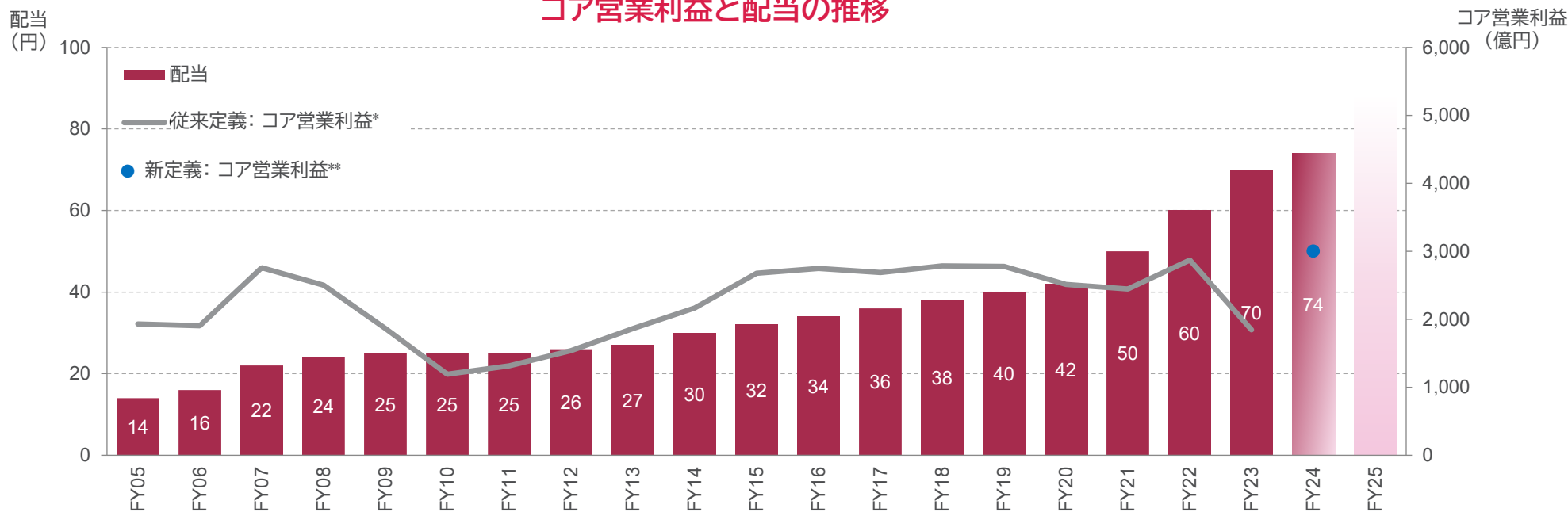
1 成長を実現するための
事業投資を最優先

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



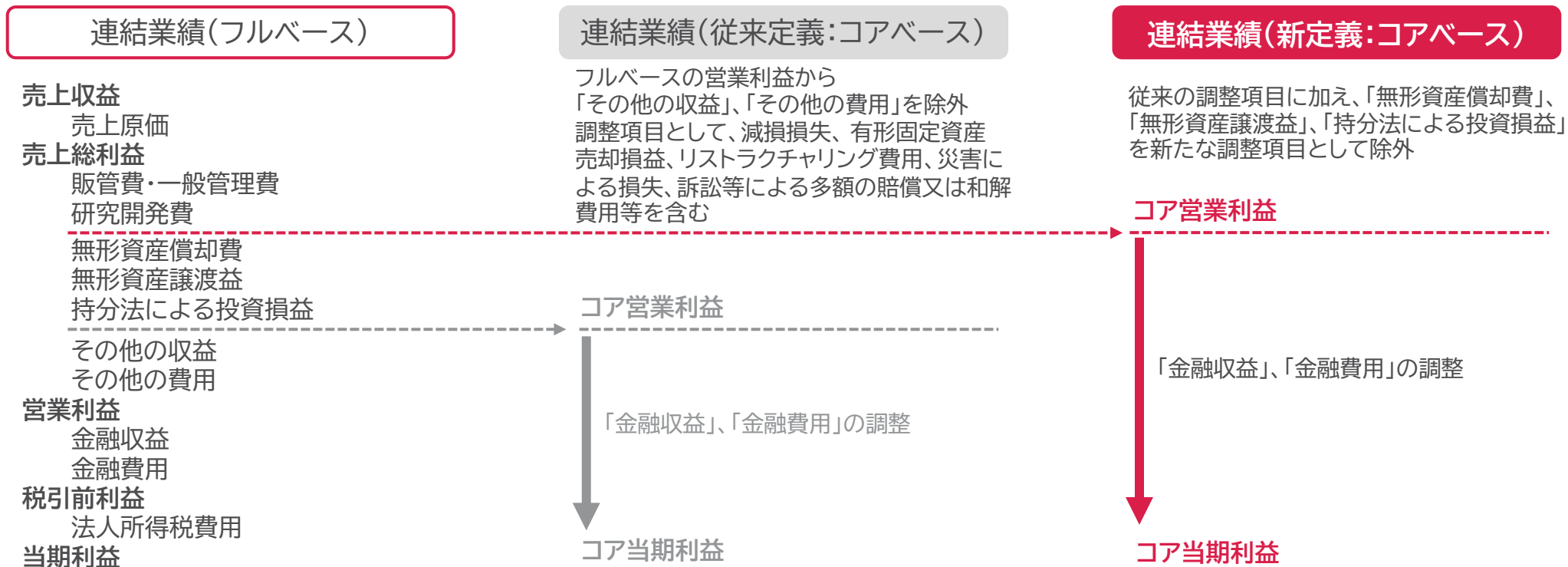
イメージ図

*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

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



重点戦略製品のライフサイクルマネジメント

製品	適応症	現況	今後のマイルストーン
 <p>PADCEV enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials</p>	筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)	第Ⅲ相EV-303およびEV-304試験進行中	2025年度にトップライン結果入手見込み
	筋層非浸潤性膀胱がん(NMIBC)	第Ⅰ相EV-104試験進行中	2025年度にトップライン結果入手見込み
	頭頸部がん	二次治療以降:今後の開発計画検討中 一次治療:第Ⅱ相EV-202試験進行中	(検討中) 2025年度にトップライン結果入手見込み
 <p>izervay (avacincaptad pegol intravitreal solution) 2 mg</p>	地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性	日本: PMDAと協議中 LCMの機会を検討中 (例:プレフィルドシリンジ、徐放製剤)	(検討中)
	Stargardt病	第Ⅱ相試験進行中	2025年度にトップライン結果入手見込み
 <p>VEOZAHTM (fezolinetant) tablets 45 mg</p>	閉経に伴うVMS	日本:第Ⅲ相STARLIGHT 2および3試験 進行中	2026年度以降にトップライン結果入手見込み
	乳がん患者におけるVMS	第Ⅲ相HIGHLIGHT 1試験進行中	2027年度にトップライン結果入手見込み
 <p>VYLOYTM zobetuximab for injection 100mg vial</p>	胃腺がんおよび食道胃接合部 腺がん	免疫チェックポイント阻害剤および化学療法 との併用を評価する第Ⅲ相試験準備中	2025年度1Qに開始予定
	膵腺がん	申請用第Ⅱ相GLEAM試験進行中	2024年度4Qにトップライン結果入手見込み
 <p>XOSPATA[®] gilteritinib 40mg tablets</p>	未治療AML (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相PASHA試験進行中	2026年度にトップライン結果入手見込み

2024年10月時点、全てを列挙していない

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

PMDA:医薬品医療機器総合機構、LCM:ライフサイクルマネジメント、VMS:血管運動神経症状、AML:急性骨髄性白血病

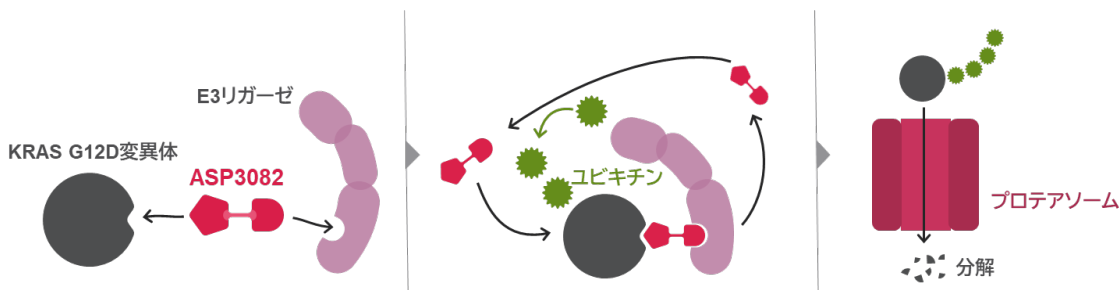
Primary Focusフラッグシッププログラムの概要(1/2)

31

ASP3082 (標的タンパク質分解誘導)

KRAS G12D変異体を標的とするタンパク質分解誘導剤

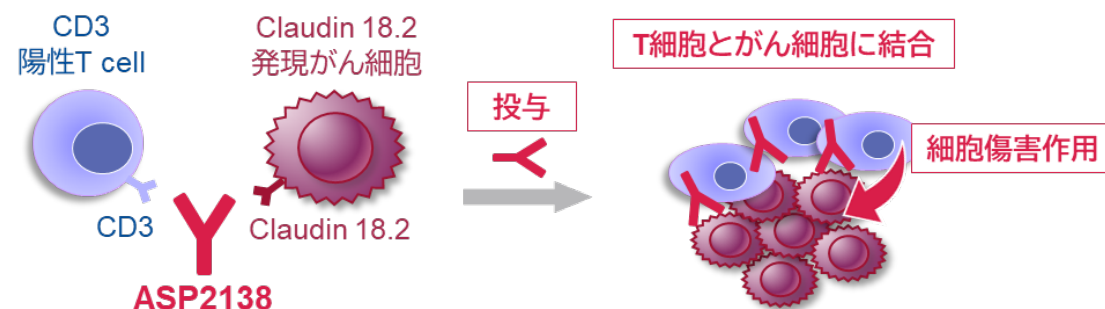
- 対象疾患: KRAS G12D変異を有するがん
 - ✓ KRAS G12D変異患者の割合: 膵臓がんの約40%、大腸がんの約15%、非扁平上皮非小細胞肺がんの約5%¹
- 標準治療(転移性膵臓がん): 化学療法
- 現況: 第 I 相試験進行中(NCT05382559)
 - ✓ 膵臓がん: 二次治療以降(単剤)、一次治療(化学療法併用)
 - ✓ 大腸がん: 二次治療以降(単剤、セツキシマブ併用)
 - ✓ 非小細胞肺がん: 二次治療以降(単剤)
- PoC見極め予定時期: CY2025前半



ASP2138 (がん免疫)

Claudin 18.2およびCD3を標的とする二重特異性抗体

- 対象疾患: 胃および食道胃接合部腺がん、膵臓がん
 - ✓ Claudin 18.2陽性患者の割合*: 胃および食道胃接合部腺がんの約70%²、膵臓がんの60%³
- 標準治療(HER2陰性・進行性胃および食道胃接合部腺がん)
 - ✓ 一次治療: 化学療法 +/- 免疫チェックポイント阻害剤
 - ✓ 二次治療: パクリタキセル + ラムシルマブ
- 現況: 第 I 相試験進行中(NCT05365581)
 - ✓ 胃および食道胃接合部腺がん、一次・二次治療、単剤・併用療法
- PoC見極め予定時期: 2025年度前半



*Claudin 18.2の染色がレベルによらず(1%以上)認められる患者の割合
1. npj Precis Oncol. 2022;6:91, 2. Gastric Cancer. 2024;27:1058, 3. Int J Cancer. 2013;134:731
KRAS:Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、PoC:コンセプト検証

Primary Focusフラッグシッププログラムの概要(2/2)

32

AT845 (遺伝子治療)

ヒトGAA遺伝子を筋肉で特異的に発現させる遺伝子組み換えAAV8

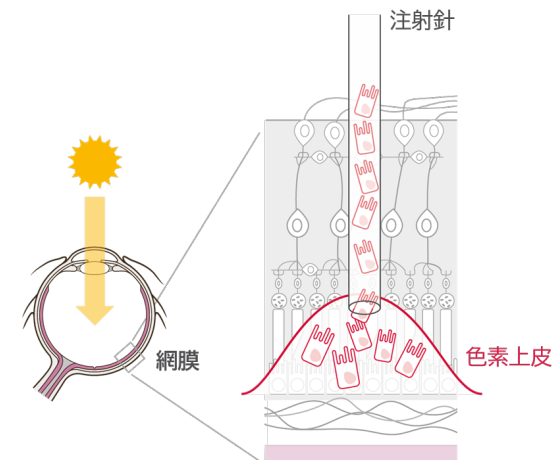
- 対象疾患: ポンペ病
 - ✓ 推定発症率: 約4万人に1人¹
- 標準治療: 酵素補充療法(ERT)
 - ✓ 2週間に1回の継続的な点滴投与が必要
 - ✓ 施行後2-3年経過すると二次的な病態進行^{2,3,4}
- 現況: 第 I / II 相FORTIS試験進行中(NCT04174105)
 - ✓ ERT離脱後2年まで病態の安定が見られている⁵
- PoC見極め予定時期: 2025年度後半



ASP7317 (再生と視力の維持・回復)

視覚機能の維持・回復を目指した網膜色素上皮細胞の補充療法

- 対象疾患: 地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性
 - ✓ 推定患者数: 全世界で約500万人⁶
- 標準治療: 補体阻害剤
 - ✓ 視力改善ではなく進行抑制が目的
- 現況: 第 I b 相試験進行中(NCT03178149)
- PoC見極め予定時期: 2025年度後半



Primary Focus 遺伝子治療におけるポートフォリオ拡大の可能性

提携の概要

- AVB-101の独占的ライセンスを得るオプション契約
 - ✓ 全世界におけるAVB-101の開発・商業化に関する独占的なライセンスを得るオプション権
 - ✓ 株式購入対価2,000万米ドル、一時金最大3,000万米ドル
 - ✓ オプション権を行使した場合、オプション行使に伴う支払い、プログラムの進捗および売上高に応じたマイルストーン、ロイヤルティ支払いの可能性

AVB-101

- ヒトプログラニューリン遺伝子を送達するAAVベースの遺伝子治療
 - ✓ 脳内への単回注入投与
- 対象疾患: プログラニューリン遺伝子変異を伴う前頭側頭型認知症(FTD-GRN)
 - ✓ 重篤な若年性認知症:
一般的に、診断後3年から13年で死亡に至る
 - ✓ 実行機能*の急速な低下、行動異常、言語能力の喪失、無関心、運動機能低下を示す
*注意力、記憶力、問題解決能力など
 - ✓ 現在、根本的な治療法はない
- 第 I / II 相試験進行中([NCT06064890](#))



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
(筋層非浸潤性膀胱がん)

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

ASP3082

ASP4396

zocaglusagene nuzaparovec/
AT845

ASP2016

ASP7317

ASP5502

アビラテロンデカン酸エステル/
ASP5541 (PRL-02)

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
(膵腺がん)

avacincaptad pegol
(Stargardt病)

resamirigene bilparovec/
AT132 (XLMTM)

第III相

エンホルツマブ ベドチン
(筋層浸潤性膀胱がん)

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)

ゾルバツキシマブ
(胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん、CPIおよび化学療法併用)

ミラベグロン
(神経因性排尿筋過活動、小児(6カ月以上3歳未満):欧州)

ロキサデュスタット
(慢性腎臓病に伴う貧血、小児:欧州)

申請

エンホルツマブ ベドチン
(治療歴のない転移性尿路上皮がん: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、化学療法併用:中国)

■ 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

35

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

白金製剤および PD-1/PD-L1 阻害剤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
治療歴のない切除不能または転移性尿路上皮がん(一次治療): 欧州、日本

ゾルバツキシマブ

胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん(化学療法併用): 欧州、米国

ミラベグロン

3 歳以上18 歳未満の小児における神経因性排尿筋過活動: 欧州

ペフィシチニブ

関節リウマチ: 中国

販売承認申請
申請取り下げ

avacincaptad pegol: 地匱状萎縮を伴う加齢黄斑変性(欧州)

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

重点戦略製品：最新状況

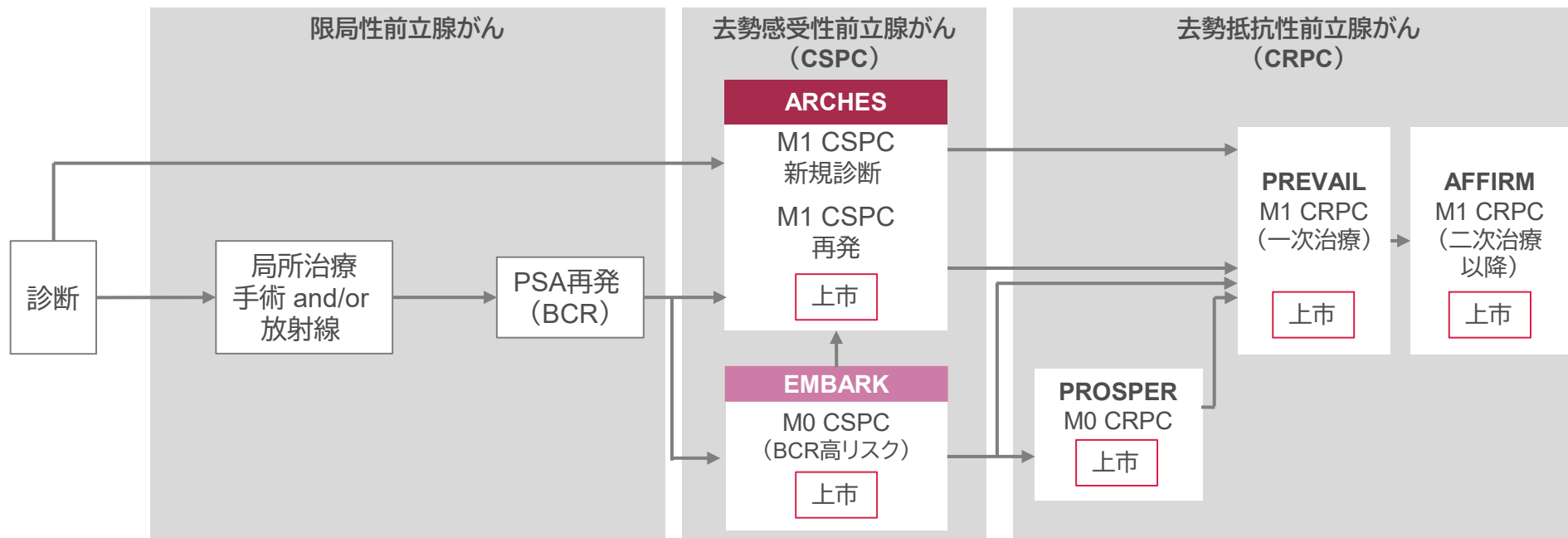
(青字:前回の決算発表以降の進捗)

一般名/製品名	適応症	最新状況
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"> 治療歴なし(一次治療):適応追加の承認を欧州で2024年8月に、日本で2024年9月に取得 治療歴あり:中国で適応追加の承認を2024年8月に取得
	筋層浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	筋層非浸潤性膀胱がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅰ相試験進行中(症例組み入れ終了)
	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/ XOSPATA	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試験に基づく開発を中止
	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(症例組み入れ終了)
	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
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 中国で承認申請が2023年7月に受理。欧州で2024年9月に、米国で2024年10月に承認取得 免疫チェックポイント阻害剤および化学療法との併用を評価する第Ⅲ相試験を2025年度1Qに開始予定
	膵腺がん	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱ相試験進行中(症例組み入れ終了)
fezolinetant/ VEOZAH	閉経に伴う血管運動神経症状	<ul style="list-style-type: none"> 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相試験進行中
	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	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅲ相HIGHLIGHT 1試験の最初の症例への投与を2024年8月に達成
avacincaptad pegol/ IZERVAY	地匱状萎縮を伴う加齢黄斑変性	<ul style="list-style-type: none"> 米国でラベル改訂の承認申請が2024年3月に受理 2024年10月に欧州の販売承認申請取り下げ
	Stargardt病	<ul style="list-style-type: none"> 第Ⅱb相試験進行中

VEOZAH:米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

AML:急性骨髄性白血病

エンザルタミド(1/2): アンドロゲン受容体阻害剤



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

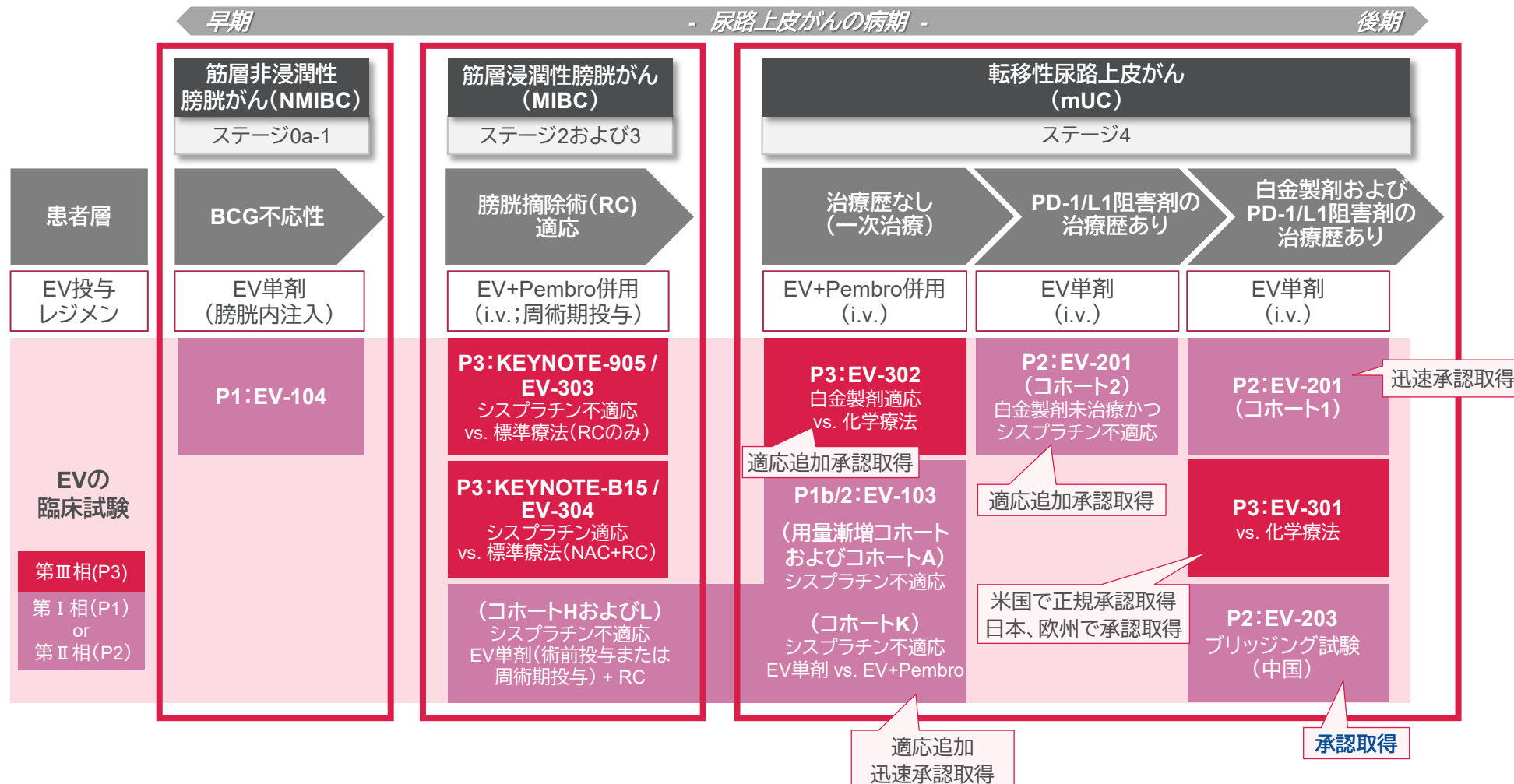
病期	早期			後期		
	去勢感受性(CSPC)			去勢抵抗性(CRPC)		
	M0	M1		M0	M1 (化学療法歴なし)	M1 (化学療法歴あり)
第Ⅲ相試験	EMBARK	ARCHES	ENZAMET	PROSPER	PREVAIL	AFFIRM
対照	プラセボ	プラセボ	従来の非ステロイド性抗アンドロゲン剤	プラセボ	プラセボ	プラセボ
主要評価項目	✓ MFS HR 0.42	✓ rPFS HR 0.39	✓ OS HR 0.67	✓ MFS HR 0.29	✓ rPFS HR 0.17 ✓ OS HR 0.71*	✓ OS HR 0.63
全生存期間 (OS)	(試験進行中)	✓ 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)(1/6): 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

(青字:前回の決算発表以降の進捗)



エンホルツマブ ベドチン(EV)(2/6): 臨床試験

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

尿路上皮がん

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=886	2023年12月に米国で、 2024年8月に欧州で、2024年9月に日本で適応追加の承認取得。 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=595	症例組み入れ終了
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 I b/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	2024年8月に中国で承認取得
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	症例組み入れ終了

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=329	症例組み入れ終了
------------	-----------------------------	--	-------	-----------------

エンホルツマブ ベドチン(EV)(3/6): 病期別臨床試験データ

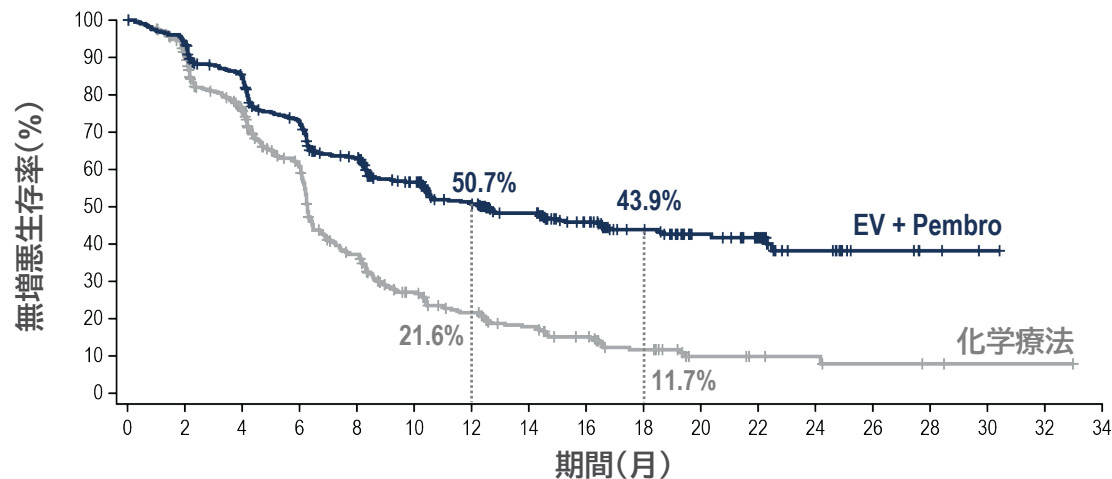
病期	早期						後期		
	筋層浸潤性膀胱がん			転移性尿路上皮がん					
	手術適応		治療歴なし(一次治療)				PD-1/L1阻害剤の治療歴あり		
	Cis適応	Cis不適応	白金製剤適応	Cis不適応		白金製剤未治療かつCis不適応	白金製剤の治療歴あり		
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2		Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK		EV-103 コホートA & 用量漸増コホート	EV-201 コホート2	EV-201 コホート1	EV-301
症例数	784(2群)	595(3群)	886	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	EFS	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)(4/6)： 転移性尿路上皮がん一次治療における臨床試験データ(EV-302)

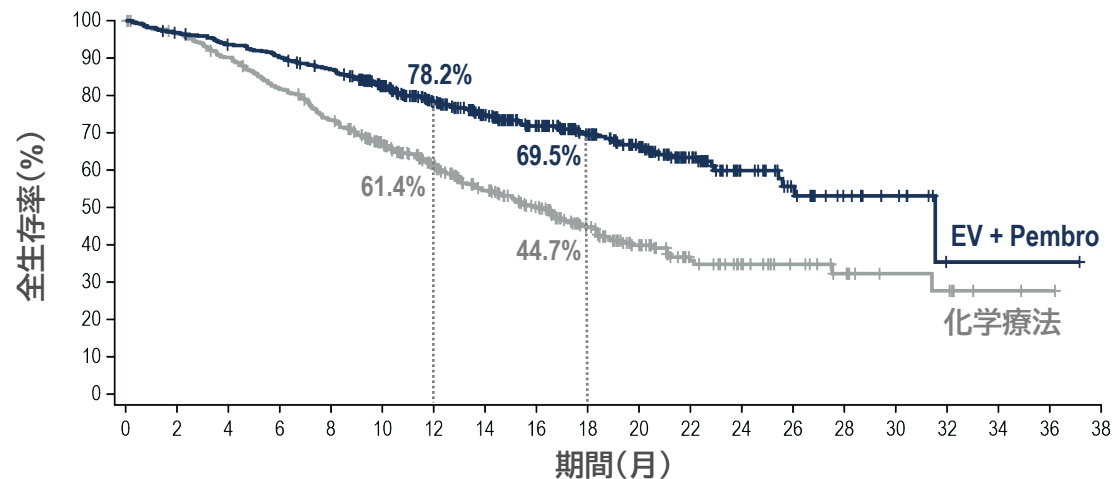
化学療法に対して統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善:mOSおよびmPFSを約2倍に延長

<無増悪生存期間(PFS)>



	N	イベント数 (%)	ハザード比 (95% CI)	P値 (両側検定)	mPFS (95% CI)、月
EV + Pembro	442	223 (50.5)	0.45	<0.00001	12.5 (10.4-16.6)
化学療法	444	307 (69.1)	(0.38-0.54)		6.3 (6.2-6.5)

<全生存期間(OS)>



	N	イベント数 (%)	ハザード比 (95% CI)	P値 (両側検定)	mOS (95% CI)、月
EV + Pembro	442	133 (30.1)	0.47	<0.00001	31.5 (25.4-NR)
化学療法	444	226 (50.9)	(0.38-0.58)		16.1 (13.9-18.3)

- 化学療法: シスプラチン or カルボプラチン + ゲムシタビン
- 化学療法群の30.4%でアベルマブ維持療法が施行

エンホルツマブ ベドチン(EV)(5/6)： 尿路上皮がん以外の固形がんにおける臨床試験データ(EV-202)

コホート	がん種	n	客観的奏効率(ORR)	
			目標*	結果
1	ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん	45	30%	15.6%
2	トリプルネガティブ乳がん	42	25%	19.0%
3	扁平上皮非小細胞肺がん	23	17.5%	4.3%
4	非扁平上皮非小細胞肺がん	43	25%	16.3%
5	頭頸部がん	46	17.5%	23.9%
7	食道胃接合部腺がんを含む 胃および食道腺がん	42	17.5%	9.5%
8	食道扁平上皮がん	44	17.5%	18.2%
9	頭頸部扁平上皮がん(一次治療)	進行中		

コホート1-8:二次治療以降、単剤

コホート9:一次治療、ペムブロリズマブ併用

*「有望な抗腫瘍効果がある」と判断するのに必要な奏効率

エンホルツマブ ベドチン(EV)(6/6): 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		ピポタル試験 (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	19,000**
	Cis適応	EV-304 (Pembro併用)	2025年度以降	64,000**
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]	87,000
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	1,500 (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	46,000

<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**)

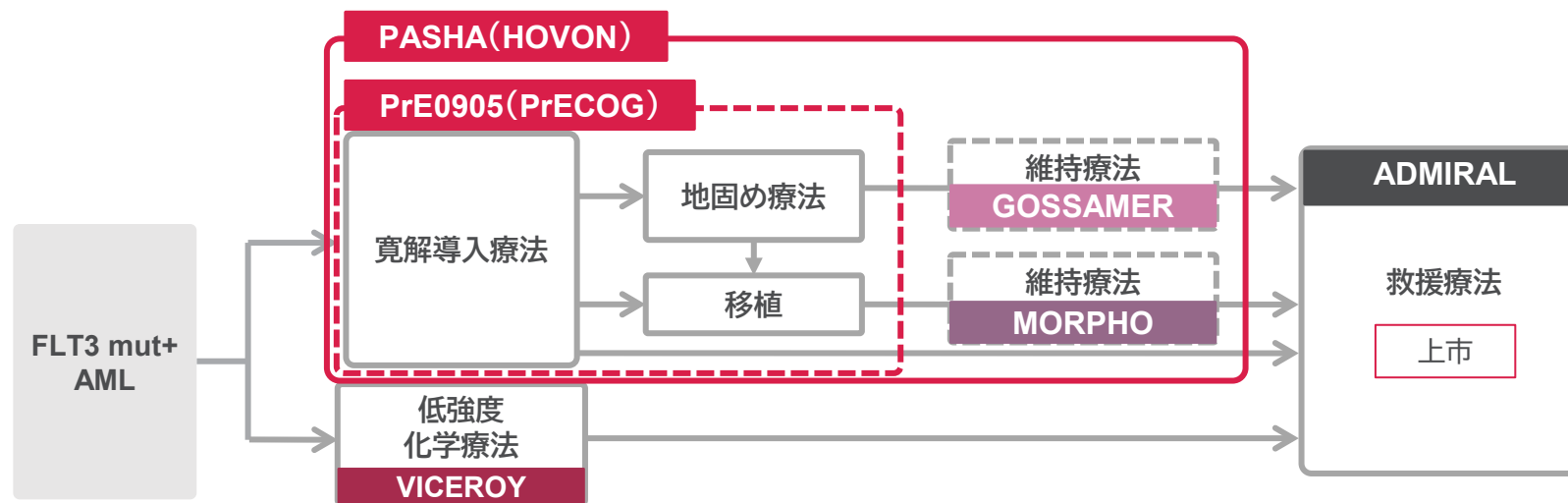
*単剤:

- 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がん
- 非扁平上皮非小細胞肺がん
- 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=766	症例組み入れ終了(治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	NCT03836209		n=181	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

(青字: 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
- 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん対象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38%がClaudin 18.2陽性と判定*
- 膵腺がん対象GLEAM試験において、スクリーニングされた患者の27.7%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

- ステージ4の転移性胃がんにおける5年生存率は約6%

膵腺がん

- 転移性のステージにおける5年生存率は5%以下

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月に中国で承認申請が受理。 2024年3月に日本で、 2024年9月に欧州で、2024年10月に米国で承認取得
	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	症例組み入れ終了
膵腺がん	第Ⅱ相: GLEAM	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=393	症例組み入れ終了

*Claudin 18の免疫組織化学染色で、75%以上の腫瘍細胞において細胞膜が中程度～強度の染色を示す場合に陽性と判定
mFOLFOX6: 5-FU + ロイコボリン + オキサリプラチン、CAPOX: カペシタビン + オキサリプラチン、FLOT: フルオロウラシル + ロイコボリン + オキサリプラチン + ドセタキセル

fezolinetant: NK3受容体拮抗剤

(青字: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

閉経に伴うVMS

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
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

補助内分泌療法中の乳がん患者におけるVMS

第Ⅲ相:HIGHLIGHT 1	NCT06440967	乳がん補助内分泌療法に伴う中等度から重度のVMSを有する患者 52週(有効性評価のエンドポイントは4週および12週): 二重盲検、vs. プラセボ(1:1)	n=540	FSFT:2024年8月
-----------------	-----------------------------	--	-------	---------------------

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

(青字: 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	2024年3月に米国でラベル改訂の承認申請が受理。 2024年10月に欧州の販売承認申請取り下げ
	第Ⅲ相: GATHER2	NCT04435366	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	NCT03364153	vs. 対照群	n=121	FSFT: Jan 2018

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

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

