

2024年度第3四半期決算概況



2025年2月4日

アステラス製薬株式会社

専務担当役員 財務担当

北村 淳

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3四半期 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

2024年度第3四半期決算ハイライト

売上収益

- 前年同期比で**大きく増加(+22%)**
- 重点戦略製品: 2,400億円以上に拡大(対前同 **+1,400億円**)

販管費*

- SMT(Sustainable Margin Transformation)の各施策は好調に進捗、販管費率は対前同で**4.0ppt改善**

コア営業利益

- XTANDIおよび重点戦略製品の拡大とSMTによるコスト最適化により、前年同期比で**大きく増加(+44%)**

通期予想の修正

- コアビジネスの好調な進捗を踏まえ、売上収益(**+1,000億円**)およびコア営業利益(**+700億円**)を上方修正

2024年度第3四半期業績

(億円)	2023年度 3Q(4-12月)	2024年度 3Q(4-12月)	増減額	増減率	2024年度 最新予想	為替の影響(前年同期比)
売上収益	11,891	14,530	+2,640	+22.2%	19,000	+663
売上原価	2,193	2,723	+531	+24.2%	3,450	+76
販管費	5,470	6,317	+848	+15.5%	8,450	+317
内、米国XTANDI共同販促費用	1,462	2,001	+539	+36.8%	2,550	+121
上記を除く販管費	4,007	4,316	+309	+7.7%	5,900	+196
(販管費率*)	33.7%	29.7%	-4.0ppt		31.1%	
研究開発費	2,163	2,514	+351	+16.2%	3,400	+99
(研究開発費率)	18.2%	17.3%	-0.9ppt		17.9%	
コア営業利益**	2,065	2,975	+910	+44.1%	3,700	+171
(コア営業利益率)	17.4%	20.5%	+3.1ppt		19.5%	

<フルベース>

無形資産償却費	662	1,042	+380	+57.5%		2023年度2QからIZERVAYの 無形資産償却を開始
その他の収益	85	44	-41	-47.9%		主なその他の費用(3Q計上分)
その他の費用	840	2,206	+1,366	+162.7%		• 無形資産の減損損失: 1,805 主な減損損失として、 IZERVAY(米国外): 1,151、AT466: 518、iota: 80
営業利益	741	-225	-966	-	110	
税引前四半期利益	736	-293	-1,029	-	10	
四半期利益	503	-241	-745	-	140	

最新予想のうち、売上収益および各段階利益は2025年1月24日公表。最新予想の為替レート:1ドル153円、1ユーロ164円

2024年度3Q(4-12月)の為替レート(実績):1ドル152円、1ユーロ165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3四半期業績：XTANDIおよび重点戦略製品

XTANDI: 米国は想定以上、米国以外の地域は想定通りに拡大

(億円)	3Q実績(4-12月)	前年同期比	最新予想	
	7,031	+1,431 (+26%)	9,099	<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を4Qに見込むも、3Qの想定以上の進捗を反映し、通期予想を上方修正

重点戦略製品: 通期予想**3,400**億円以上の達成を見込む。2025年度の**5,000**億円に向けて力強い進捗

(億円)	3Q実績(4-12月)	前年同期比	最新予想	
重点戦略製品計	2,438	+1,381 (+131%)	3,449	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 利益成長に大きく貢献 ✓ 2025年度以降も更なる成長を見込む
	1,170	+614 (+110%)	1,652	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル全体で引き続き力強く成長 ✓ 今後は米国以外の1L mUCが成長を牽引し、堅調な売上拡大を見込む
	444	+392 (+743%)	715	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 米国でラベル改訂に関する再申請受理 (PDUFA date: 2月26日) ✓ 承認後は更なる売上成長の加速を期待
	244	+209 (+586%)	325	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル売上は想定通り着実に拡大 ✓ 今後もリニアな成長を見込む
	49	+49	95	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 日米欧で期待以上の立ち上がり、想定を上回るCLDN18.2検査の普及率が貢献 ✓ 好調な進捗を踏まえ、通期予想を上方修正
	531	+118 (+29%)	662	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 全ての発売国で売上が拡大、特に米国が成長を牽引 ✓ 今後は緩やかながらも、安定した継続成長を見込む

最新予想は2025年2月公表。最新予想の為替レート: 1ドル153円、1ユーロ164円(4Qの想定: 1ドル155円、1ユーロ163円)

M0: 非転移性、CSPC: 去勢感受性前立腺がん、IRA: インフレ抑制法、1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、PDUFA: 審査終了目標日、CLDN18.2: Claudin 18.2

VEOZAH: 米国外ではVEOZAの製品名で承認取得

PADCEV、IZERVAY、VYLOYのビジネスアップデート

7



1L mUCがグローバル売上を牽引

- 米国外の力強い四半期成長がグローバルを牽引、米国は安定成長が継続
(前四半期比: 全体+12%、米国以外+29%)
- 米国外の1L mUCは良好な立ち上がり
- 1L mUC承認国は16カ国まで拡大(2Qから+5)
今後も更なる承認国と保険償還の増加を見込む
- 米国の1L mUCシェアはすでに高水準
新規患者とマーケットシェアはともに55%に迫る
- 今後は米国外の本格的な売上成長が全体を牽引、米国は緩やかな成長トレンドを見込む
- 2025年度は全体で堅調な継続成長を期待
- 次の本格的な成長機会はMIBCの追加適応
- 2025年度にTLRを見込む
承認取得後は重要な成長ドライバーとして期待



米国ビジネスは本格的な成長フェーズへ

- ラベル改訂のCRLによる一時的なインパクトと在庫変動が3Q売上に影響
- 一方、ラベル改訂前でも高シェアを維持
引き続き新規患者の第一選択薬(10-11月)
 - ✓ 新規患者シェア: 約60%
 - ✓ マーケットシェア: 約40%
- 発売から3Qまで21万以上のバイアルを出荷*
- 約1,800の専門施設で採用
- 市販後の安全性プロファイルは臨床試験と同等
- DTC活動は想定通りに進行中
今後更なる市場拡大の加速を期待
- ラベル改訂に関する再申請受理
(PDUFA date: 2月26日)
- 承認後は更なる売上成長の加速を期待



力強い立ち上がり、更なる売上成長を見込む

- 38カ国で承認、9カ国で発売(3Q時点)
 - ✓ 10月に米国、11月にドイツで発売
 - ✓ 12月に中国で承認
- 発売した全ての地域で期待以上の立ち上がり、特に日本と米国が想定を大きく上回る
- 各地域でCLDN18.2検査の普及率が想定以上
- 主要な診療ガイドラインに推奨治療として掲載
 - ✓ 米国: NCCNガイドライン(カテゴリー1)
 - ✓ 日本: 胃癌治療ガイドライン(推奨)
- 2025年度は日米欧の更なる成長に加え、中国での売上貢献を見込む
- 成長ドライバーとして本格的な売上成長を期待

*臨床試験用を除く

1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、TLR: トップライン結果、CRL: 審査完了報告通知、DTC: Direct-to-consumer、PDUFA: 審査終了目標日、CLDN18.2: Claudin 18.2、NCCN: National Comprehensive Cancer Network



2024年度第3四半期業績：販管費および研究開発費

- SMTの各施策は2024年度末目標である400億円のコスト最適化に向けて好調に進捗
- **販管費率は29.7%まで改善(対前同 -4.0ppt)**

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	7.7%増加 (為替の影響を 除くと2.8%増加)	販管費率:29.7%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ グローバル組織改革の進展 (対前同: 約-120) ✓ 成熟製品の費用削減 (対前同: 約-80) ✓ デジタルおよびAI活用による全社的な業務効率化(対前同: 約-40) 捻出したリソースを重点戦略製品へ再投資
研究開発費	16.2%増加 (為替の影響を 除くと11.6%増加)	研究開発費率:17.3%	<ul style="list-style-type: none"> ✓ Primary Focus、重点戦略製品のLCM、R&D機能強化 (対前同: 約+160) ✓ 1Qで発生した一過性の共同開発費用支払いも増加要因 ✓ 自社ケイパビリティ強化による外注費削減は着実に進展

2024年度通期業績予想：修正予想

- コアベース：売上収益とSMTの好調な進捗を踏まえ上方修正
- フルベース：主にIZERVAY(米国外)、AT466の減損損失により段階利益を下方修正
- 一株当たり配当金は74円予想を据え置き

最新予想の為替レート：1ドル153円、1ユーロ164円
(4Qの想定：1ドル155円、1ユーロ163円)

(億円)	2023年度 実績	2024年度			主な修正項目
		前回予想	最新予想	差異	
売上収益	16,037	18,000	19,000	+1,000	<ul style="list-style-type: none"> XTANDI：約+300 為替の影響：約+450
販管費	7,401	8,230	8,450	+220	
内、米国XTANDI共同販促費用	1,949	2,290	2,550	+260	<ul style="list-style-type: none"> SMTの好調な進捗を反映
上記を除く販管費	5,452	5,940	5,900	-40	
(販管費率*)	34.0%	33.0%	31.1%	-1.9ppt	
研究開発費	2,942	3,410	3,400	-10	<ul style="list-style-type: none"> 大きな変更なし
(研究開発費率)	18.3%	18.9%	17.9%	-1.0ppt	
コア営業利益**	2,769	3,000	3,700	+700	<ul style="list-style-type: none"> 為替の影響：約+100
(コア営業利益率)	17.3%	16.7%	19.5%	+2.8ppt	
<フルベース>					
営業利益	255	800	110	-690	<ul style="list-style-type: none"> 減損損失：約-1,800 (米国外IZERVAY：約-1,200、AT466：約-500、iota：約-100) 期初に織り込んでいた減損損失リスクなどのその他の費用の取り崩し

前回予想は2024年10月公表。前回予想の為替レート：1ドル149円、1ユーロ160円

SMT(Sustainable Margin Transformation)：概要はスライド28参照

*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

10

I

2024年度第3四半期 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

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	★ 承認(M1 CSPC:中国) 6月			
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		★ 承認(2L+ mUC:中国、1L mUC:欧州) 8月 ★ 承認(1L mUC:日本) 9月		★ 承認(1L mUC:中国) 1月
ゾルベツキシマブ/ VYLOY	★ 再申請受理(米国) 5月		★ 承認(米国) 10月 ★ 承認(欧州) 9月	★ 承認(中国) 12月 ★ 中間解析(膵臓がん) 12月 ▶ 独立データモニタリング委員会 が最終解析までの試験継続を勧告 (2025年度後半*を見込む)
avacincaptad pegol/ IZERVAY		審査完了報告通知 (ラベル改訂:米国) ★ 11月 販売承認申請 取り下げ(欧州) ★ 10月	再申請受理 ★ 1月	🎯 審査終了目標日 2月 申請(日本)

2025年2月時点

*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

avacincaptad pegol / IZERVAY: 最新状況

製品価値最大化に向けて、承認申請の活動がグローバルで進行



米国

ラベル改訂の再申請が1月に
受理

✓ 審査終了目標日:2月26日



EU

主要国で当局との議論を個別
に実施中



日本

海外臨床試験成績に基づき、
条件付き承認制度による申請
を2月に実施予定

その他

9カ国(英国、カナダ、オーストラリア等)で承認申請を
実施済、更なる申請提出も計画中

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
	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)	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
		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	開発中止
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
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
	免疫調節*	ASP5502 ●	STING阻害剤	第 I 相試験進行中

モダリティ

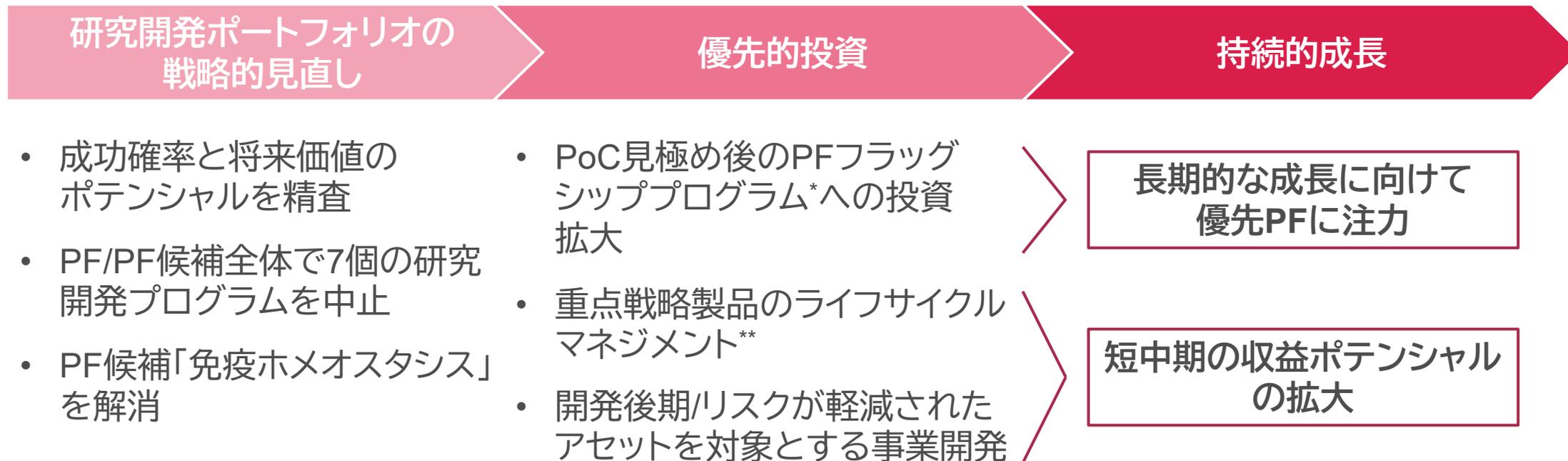
- 低分子
- 抗体
- 遺伝子
- 細胞

*PF候補「免疫ホメオスタシス」解消

★:フラッグシッププログラム(概要はスライド30-31参照)

研究開発の生産性向上

研究開発ポートフォリオを規律を持って戦略的に見直し、優先アセットにリソースを配分



*標的タンパク質分解誘導: ASP3082、がん免疫: ASP2138、遺伝子治療: AT845、再生と視力の維持・回復: ASP7317。概要はスライド30-31参照

**ライフサイクルマネジメントの取り組みの詳細はスライド29参照

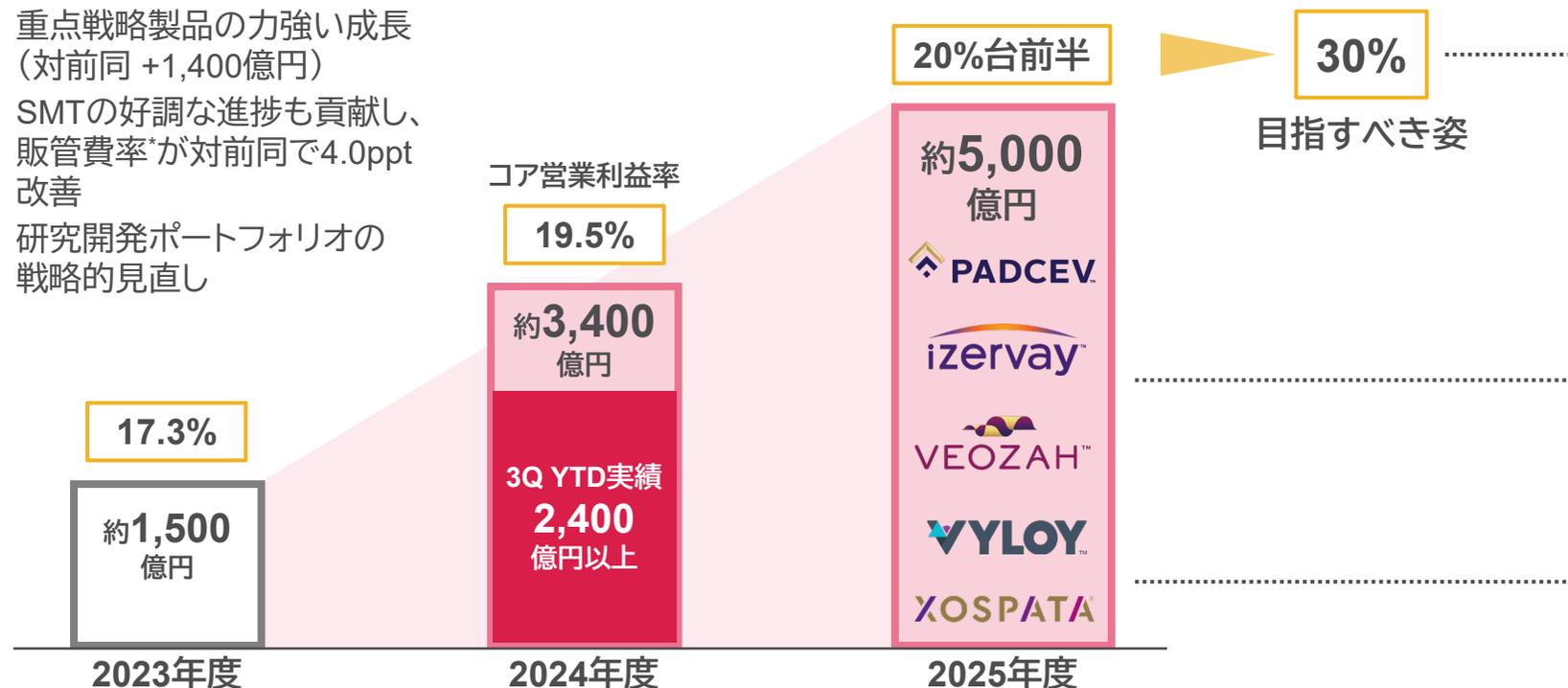
PF: Primary Focus、PoC: コンセプト検証

2024年度第3四半期の進捗と最新の見通し

本格的な成長フェーズに入り、XTANDI LOEを乗り越えて更なる成長を目指す

3Qの進捗

- 重点戦略製品の力強い成長 (対前同 +1,400億円)
- SMTの好調な進捗も貢献し、販管費率*が対前同で4.0ppt改善
- 研究開発ポートフォリオの戦略的見直し



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

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

*米国XTANDI共同販促費用を除く

LOE: 独占販売期間満了、SMT: Sustainable Margin Transformation、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



サステナビリティ・ミーティング 2024

➤ 2月21日(金) 10:00-11:30

参考資料



XTANDIおよび重点戦略製品：ピーク時売上予想(2025年2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(2025年2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3Q(4-12月)	2024年度3Q(4-12月)	変動
ドル	143円	152円	9円安
ユーロ	155円	165円	9円安

【為替の業績への影響】

- 売上収益:663億円の増加
- コア営業利益:171億円の増加

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 前回予想	2024年度 最新予想	変動
ドル	149円	153円	4円安
ユーロ	160円	164円	4円安

4Qの為替レートの想定：1ドル155円、1ユーロ163円

予想前提と比較して1円安となった場合の4Q業績(2025年1-3月)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18億円増加	約3億円増加
ユーロ	約8億円増加	約4億円増加

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12月末
総資産	35,696	34,516
現金及び現金同等物	3,357	1,799
親会社所有者帰属持分	15,960	14,938
親会社所有者帰属持分比率(%)	44.7%	43.3%
(億円)	2023年度3Q(4-12月)	2024年度3Q(4-12月)
営業CF	1,005	934
投資CF	-8,236	-865
フリーCF	-7,231	70
財務CF	5,831	-1,706
短期借入金及びコマーシャル・ペーパーの増減額	2,632	-1,756
社債の発行及び長期借入れによる収入	4,716	2,000
社債の償還及び長期借入金の返済による支出	-67	-327
配当金支払額	-1,167	-1,290

資金調達残高のハイライト

(億円)	2024年9月末	2024年12月末
資金調達残高	9,275	9,154
非流動負債	6,202	5,855
社債	3,500	3,200
長期借入金	2,702	2,655
流動負債	3,073	3,299
コマーシャル・ペーパー	1,648	1,798
短期借入金	918	672
1年以内返済予定の長期借入金	506	529
1年以内償還予定の社債	-	300

主な無形資産一覧(2024年12月末時点)

	円貨(億円)	外貨*
AT132	171	\$109M
AT845	114	\$73M
遺伝子治療関連技術**	690	\$439M
VEOZAH	910	€524M
VYLOY	610	€470M
IZERVAY (米国)	6,870	\$4,371M
IZERVAY (米国外)	542	\$345M

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

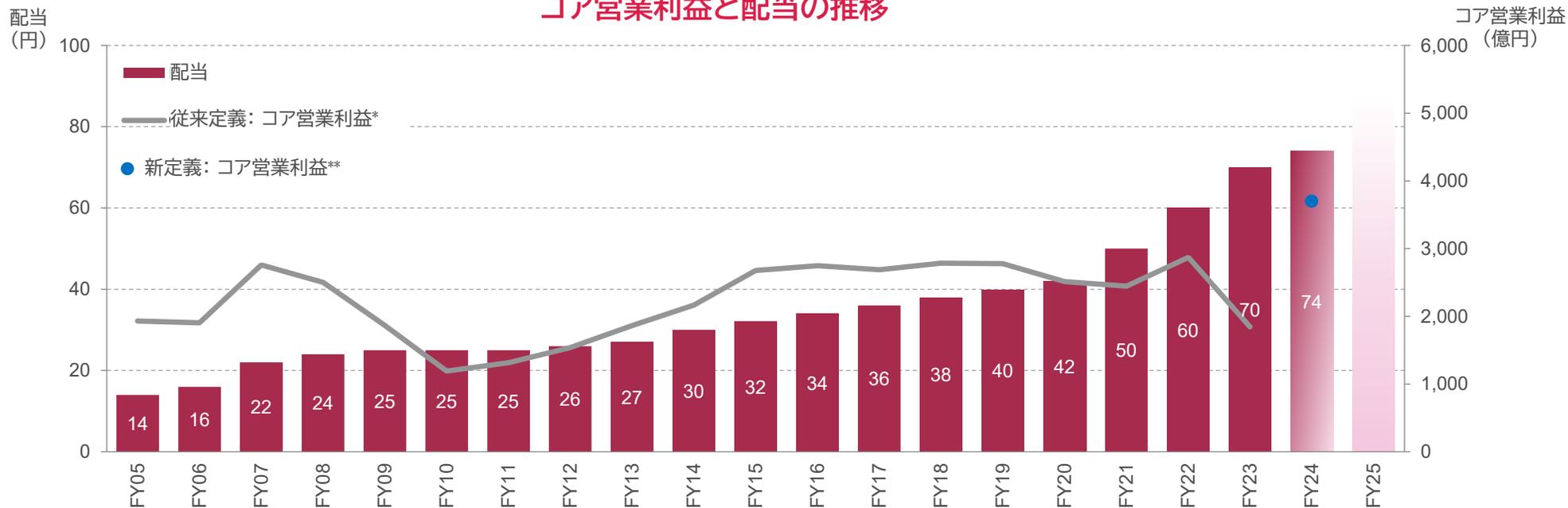
1 成長を実現するための
事業投資を最優先

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



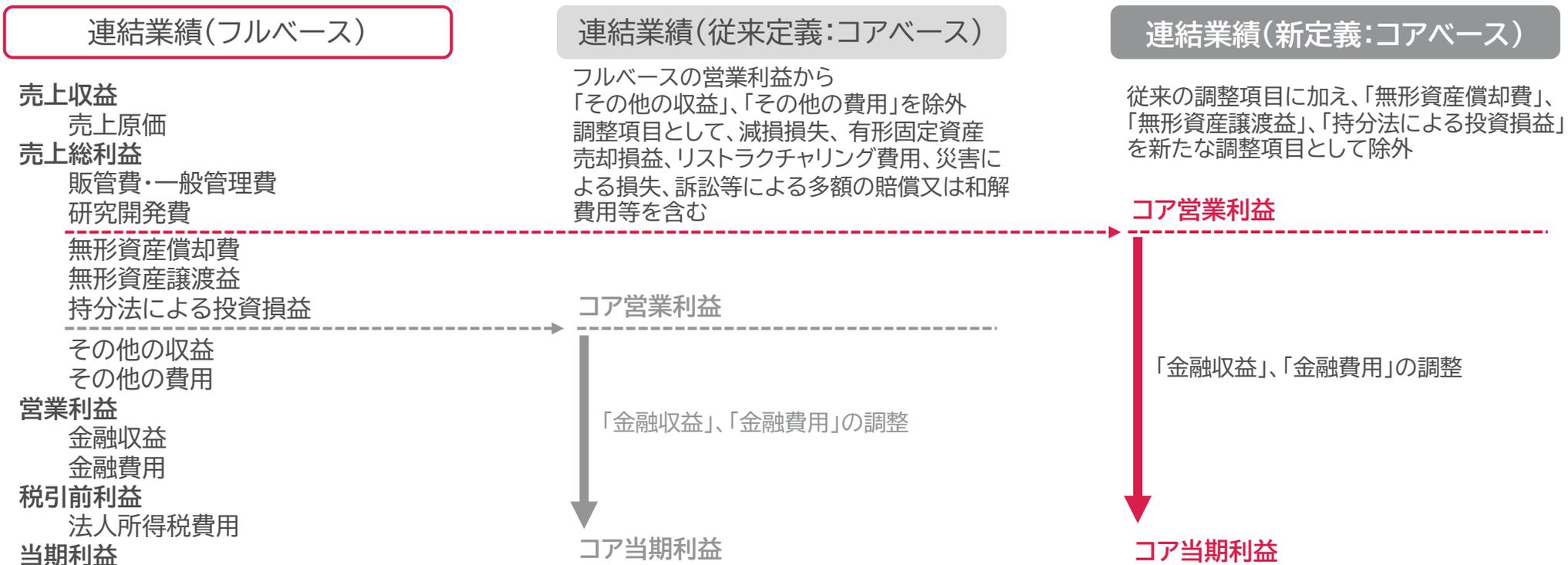
イメージ図

*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

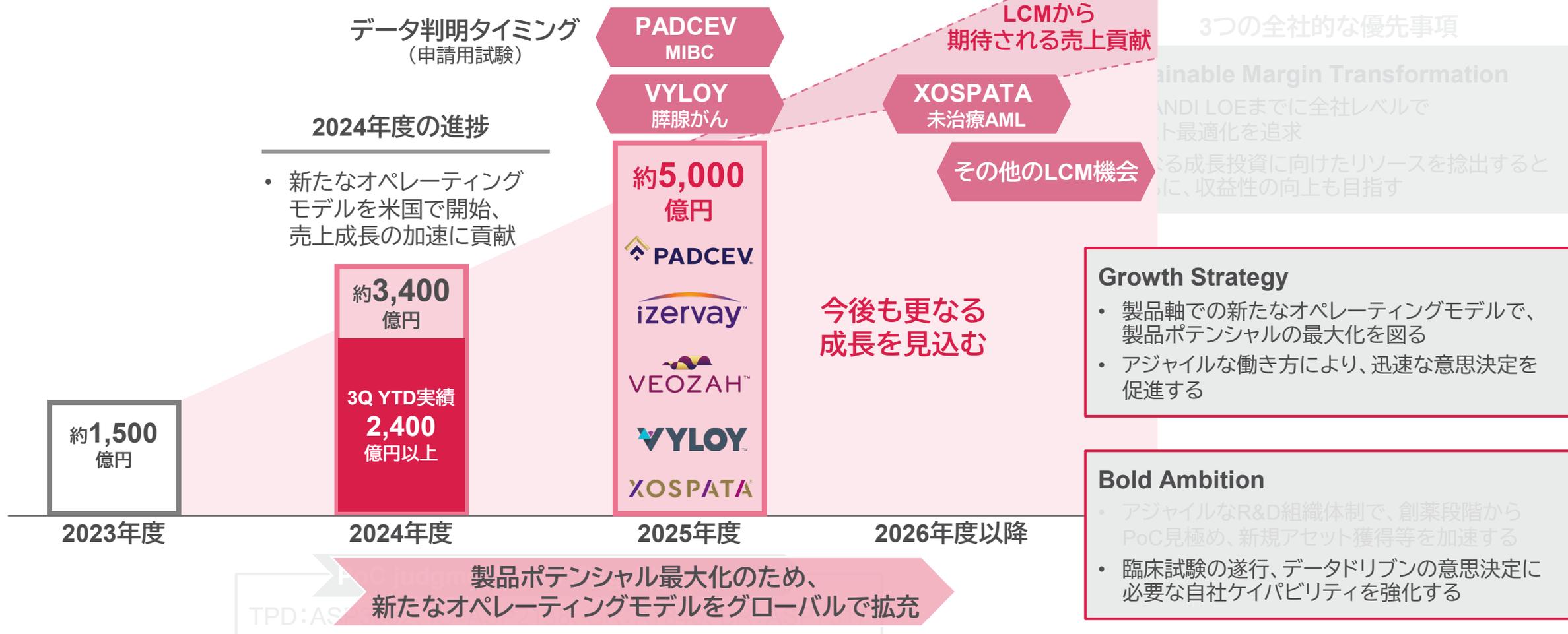
コアベース業績：定義の変更内容

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

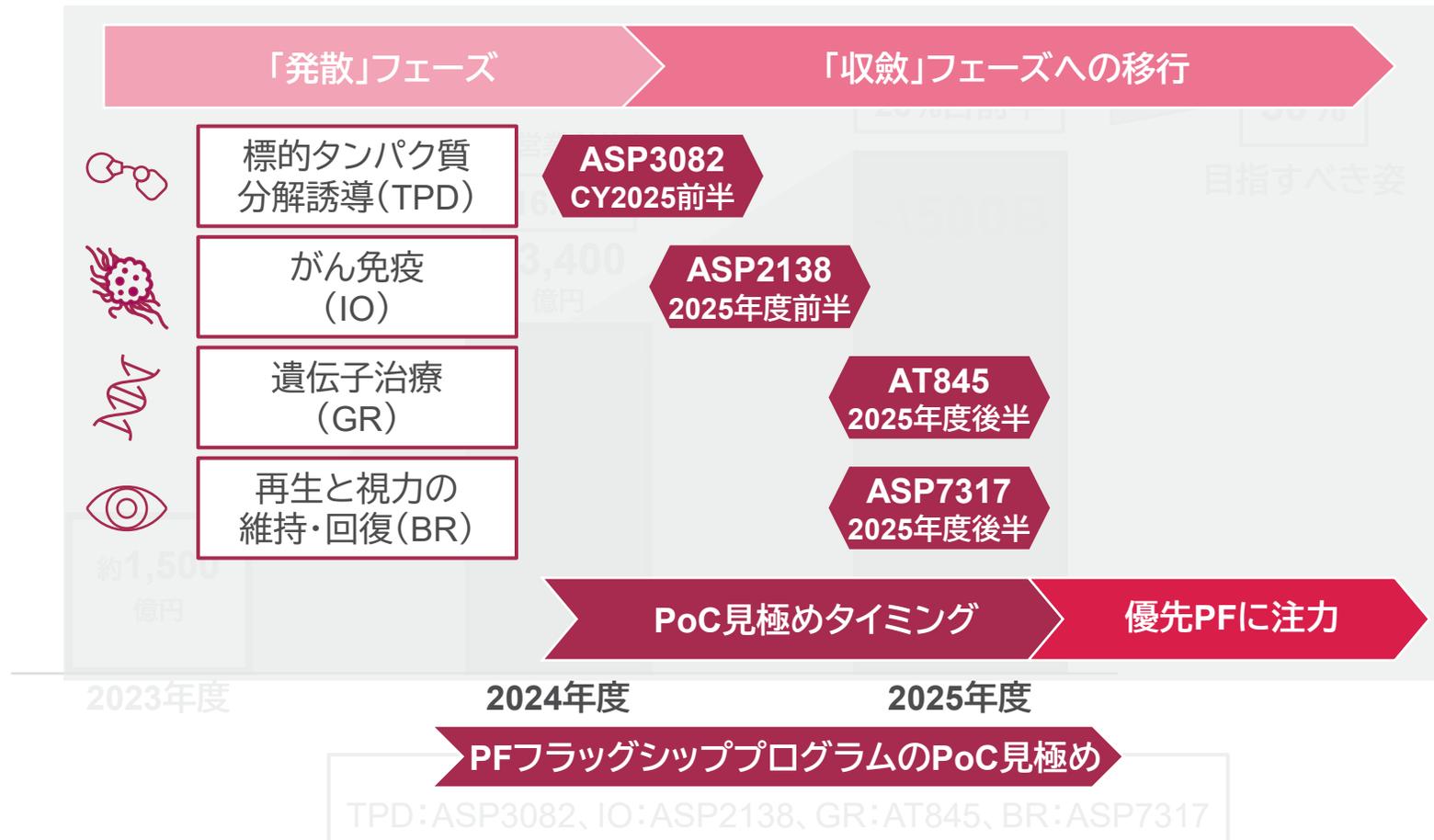


LCMの取り組みの詳細はスライド29参照
LCM: ライフサイクルマネジメント、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、AML: 急性骨髄性白血病

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

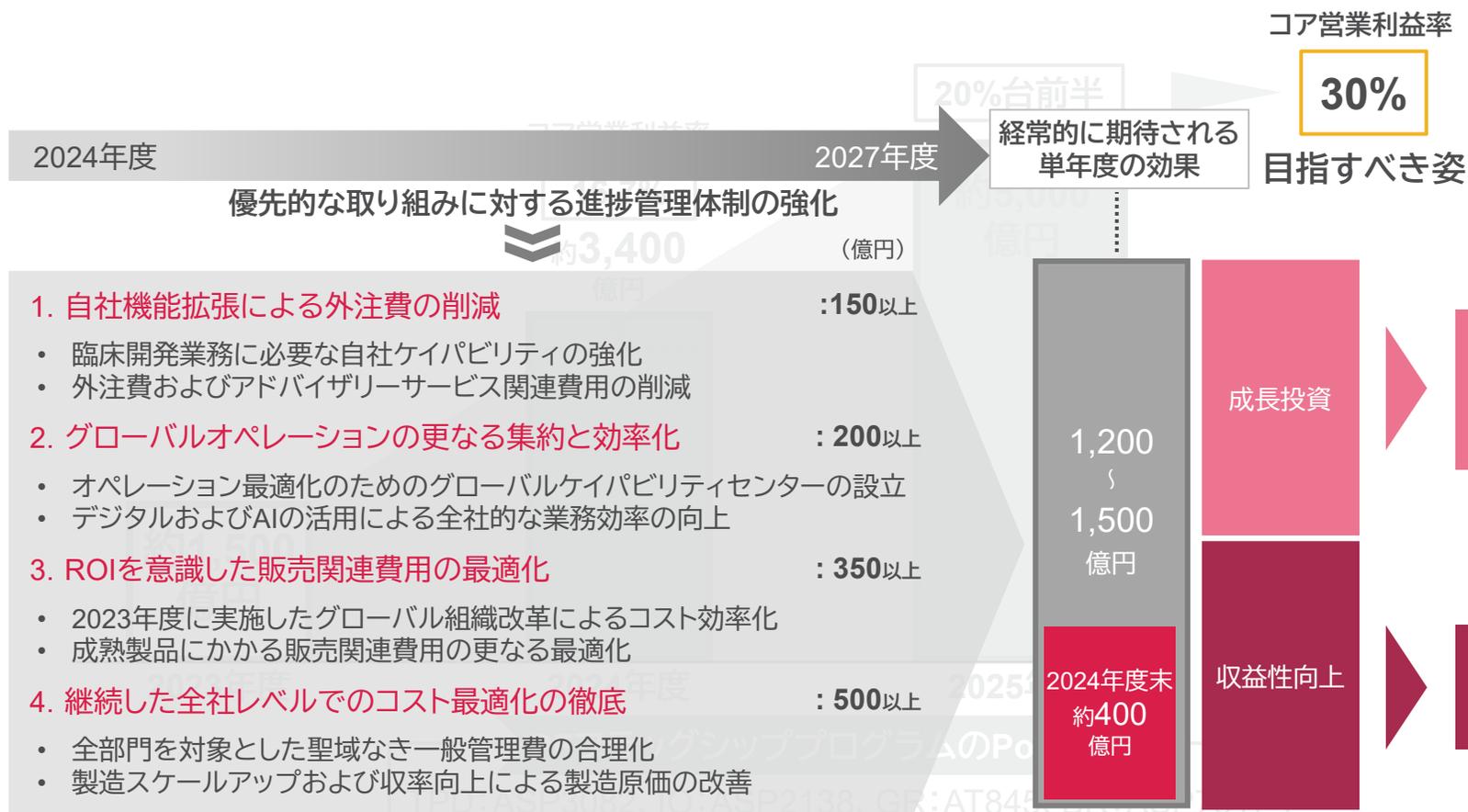
- 製品軸での新たなオペレーティングモデルで、製品ポテンシャルの最大化を図る
- アジャイルな働き方により、迅速な意思決定を促進する

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

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

重点戦略製品のライフサイクルマネジメント

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

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:承認申請準備中 LCMの機会を検討中 (例:プレフィルドシリンジ、徐放製剤)	2025年2月に承認申請予定 (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>VEOZAH (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>VYLOY zolbetuximab 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	2025年度後半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

2025年2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

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

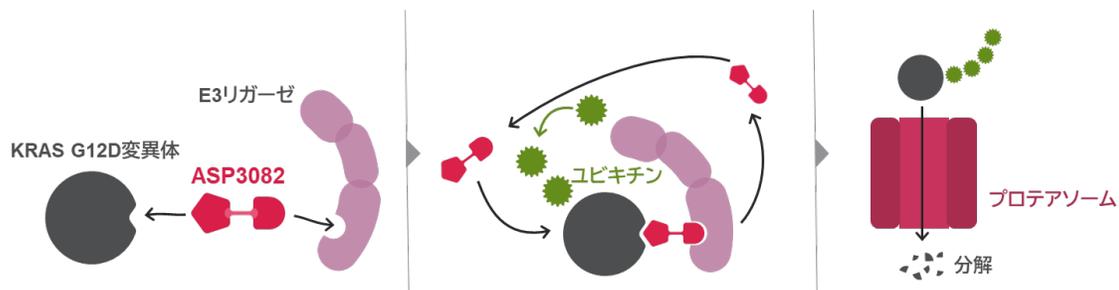
Primary Focusフラッグシッププログラムの概要(1/2)

30

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

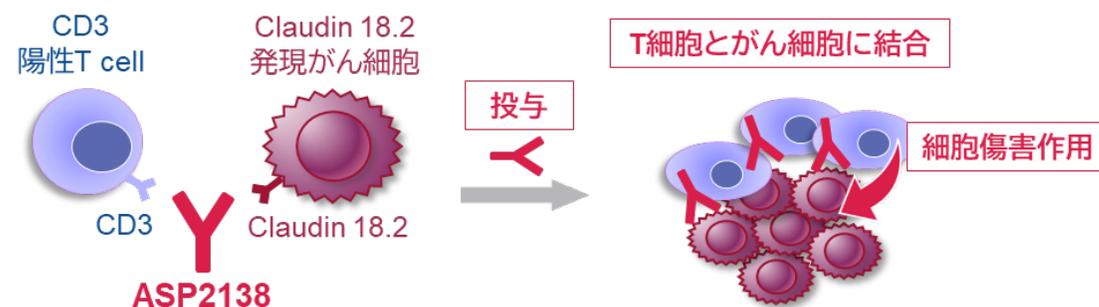
- 対象疾患: KRAS G12D変異を有するがん
 - ✓ KRAS G12D変異患者の割合: 膵臓がんの約40%、大腸がんの約15%、非扁平上皮非小細胞肺がんの約5%¹
- 標準治療(転移性膵臓がん): 化学療法
- 現況: 第 I 相試験進行中(NCT05382559)
 - ✓ 膵臓がん: 二次治療以降(単剤)、一次治療(化学療法併用)
 - ✓ 大腸がん: 二次治療以降(単剤、セツキシマブ併用)
 - ✓ 非小細胞肺がん: 二次治療以降(単剤)
- PoC見極め予定時期: CY2025前半



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)

31

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

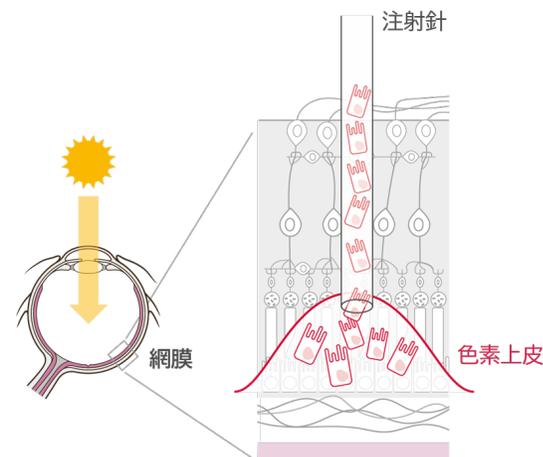
- 対象疾患: ポンペ病
 - ✓ 推定発症率: 約4万人に1人¹
- 標準治療: 酵素補充療法(ERT)
 - ✓ 2週間に1回の継続的な点滴投与が必要
 - ✓ 施行後2-3年経過すると二次的な病態進行^{2,3,4}
- 現況: 第 I / II 相FORTIS試験進行中(NCT04174105)
 - ✓ ERT離脱後2年まで病態の安定が見られている⁵
- PoC見極め予定時期: 2025年度後半



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



1. NORD (National Organization for Rare Disorders) at <https://rarediseases.org/rare-diseases/pompe-disease/>, 2. Neuromuscul Disord. 2021;31:91-100, 3. J Neurol. 2021;268:2482-2492, 4. Mol Genet Metab. 2012;106:301-309, 5. MDA Clinical & Scientific Conference 2024, 6. Retina. 2017;37:819-835
GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、AAV: アデノ随伴ウイルス、PoC: コンセプト検証

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)
■ ASP1570
■ ASP2138
■ ASP1002
■ ASP1012
■ ASP3082
■ ASP4396
■ zocaglusagene nuzaparvovec/ AT845
■ ASP7317
■ アビラテロンデカン酸エステル/ ASP5541 (PRL-02)
■ ASP5502

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)
■ ギルテリチニブ (未治療AML、強力な化学療法不適応)
■ ゾルバツキシマブ (膵腺がん)
■ avacincaptad pegol (Stargardt病)
■ resamirigene bilparvovec/ 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)

- 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

AML:急性骨髄性白血病、XLMTM:X連鎖性ミオチューブラーミオパチー、VMS:血管運動神経症状、CPI:免疫チェックポイント阻害剤

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

33

第Ⅰ相入り

第Ⅱ相入り

第Ⅲ相入り

申請

承認

ギルテリチニブ
未治療AML、強力な化学療法
不適応

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:中国

ゾルベツキシマブ
Claudin 18.2陽性、HER2陰性
の切除不能な局所進行性また
は転移性胃腺がんおよび食道
胃接合部腺がん:中国

開発中止

ASP2802: B細胞リンパ腫(第Ⅰ相)
ASP2016: フリードライヒ運動失調症に伴う心筋症(第Ⅰ相)

注) 第Ⅰ相入りおよび次相への進展:最初の症例への投与
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

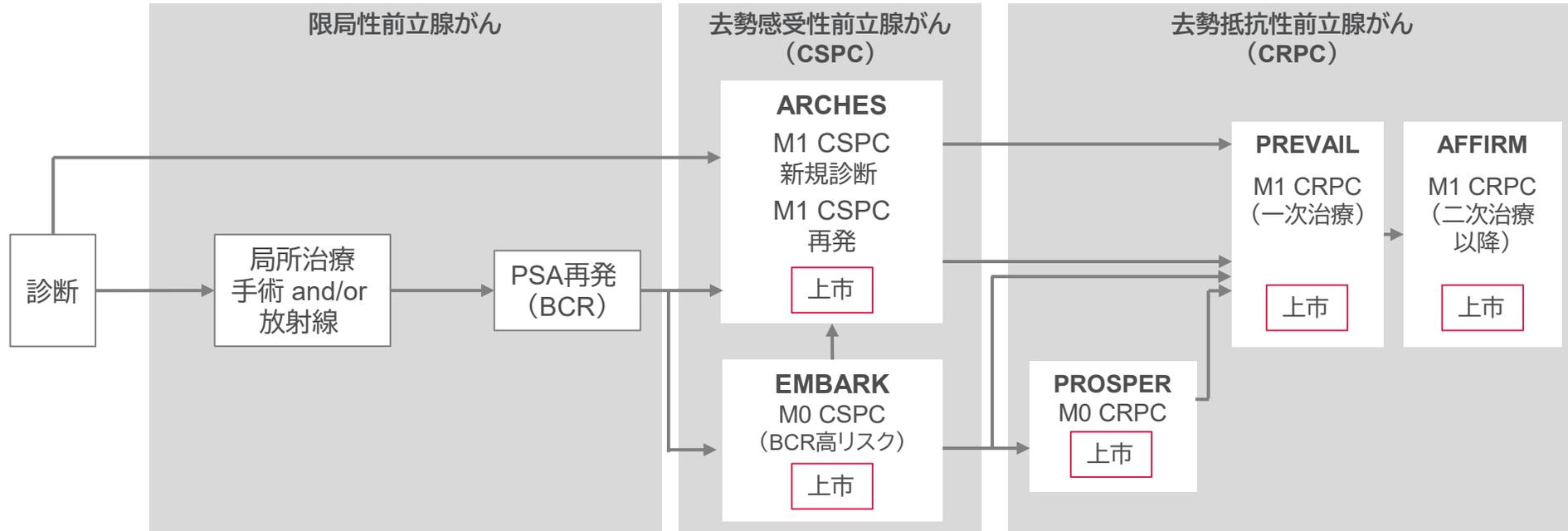
(青字:前回の決算発表以降の進捗)

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	・ 治療歴なし(一次治療): 中国で適応追加の承認を2025年1月に取得
	筋層浸潤性膀胱がん	・ 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	・ 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	・ 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	・ 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Ⅱ相に移行
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	・ 中国で2024年12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	・ 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	・ 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	・ 第Ⅲ相試験進行中
avacincaptad pegol/ IZERVAY	地匏状萎縮を伴う加齢黄斑変性	・ 米国でラベル改訂の再申請が2025年1月に受理
	Stargardt病	・ 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

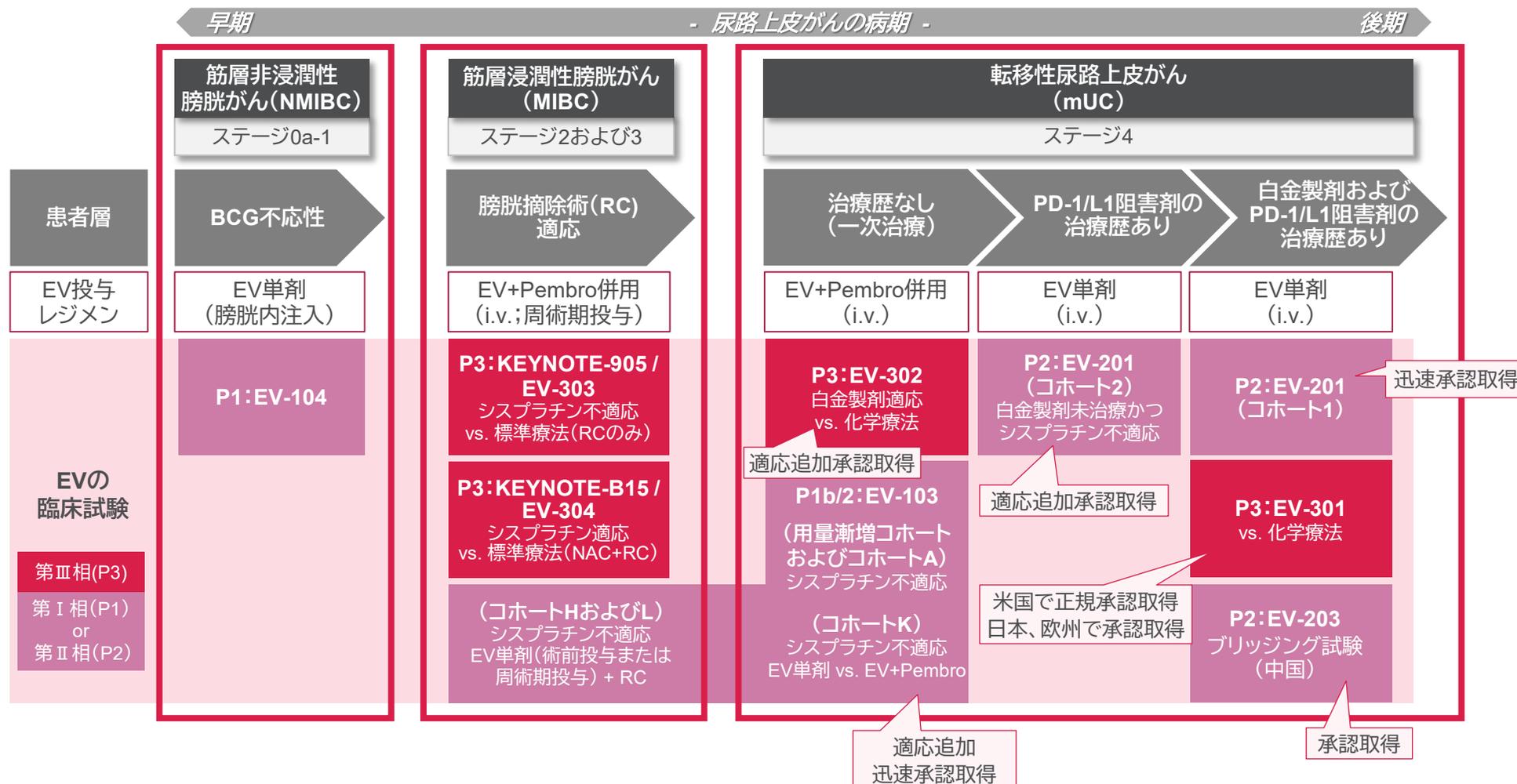
- ✓ 一貫した生存期間の延長
- ✓ より長い投与期間

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

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、MFS:無転移生存期間、rPFS:画像診断上の無増悪生存期間、HR:ハザード比

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



ADC: 抗体-薬物複合体、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)(2/6): 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、 2025年1月に中国で適応追加の承認取得
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 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;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

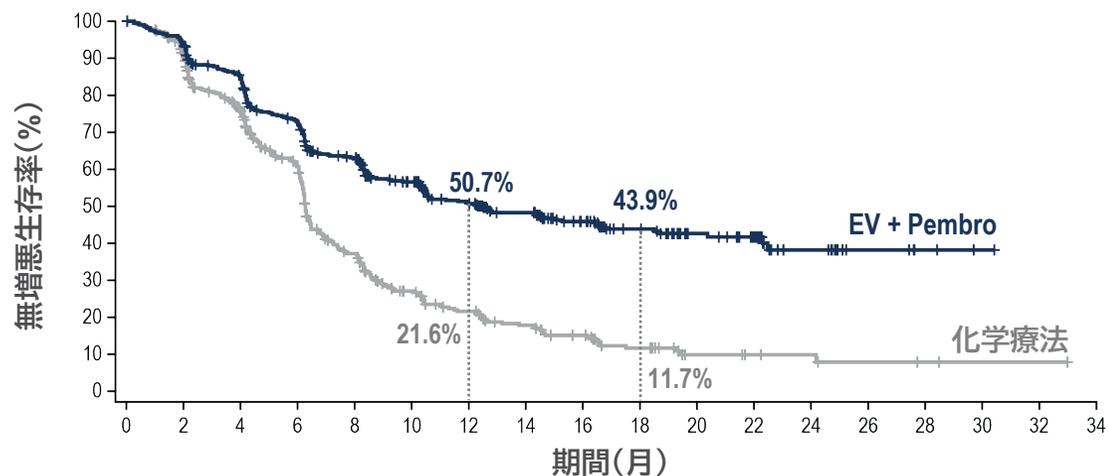
病期	早期			後期					
	筋層浸潤性膀胱がん		転移性尿路上皮がん						
	手術適応		治療歴なし(一次治療)			PD-1/L1阻害剤の治療歴あり			
	Cis適応	Cis不適応	白金製剤適応	Cis不適応		白金製剤未治療かつCis不適応	白金製剤の治療歴あり		
試験フェーズ	Phase 3	Phase 3	Phase 3	Phase 1b/2		Phase 1b/2	Phase 2	Phase 2	Phase 3
試験番号	KN-B15 / EV-304	KN-905 / EV-303	EV-302	EV-103 コホートK		EV-103 コホートA & 用量漸増コホ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

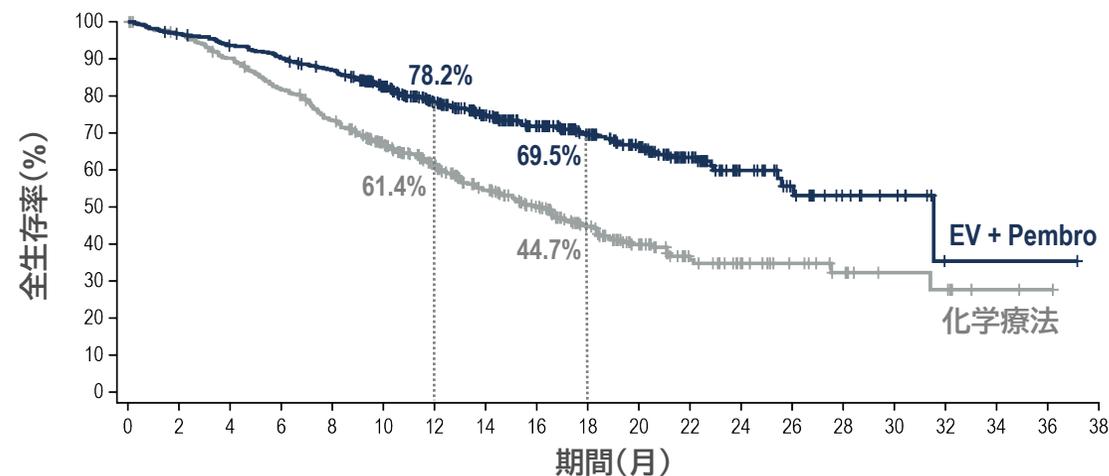
化学療法に対して統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善:mOSおよびmPFSを約2倍に延長

<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:

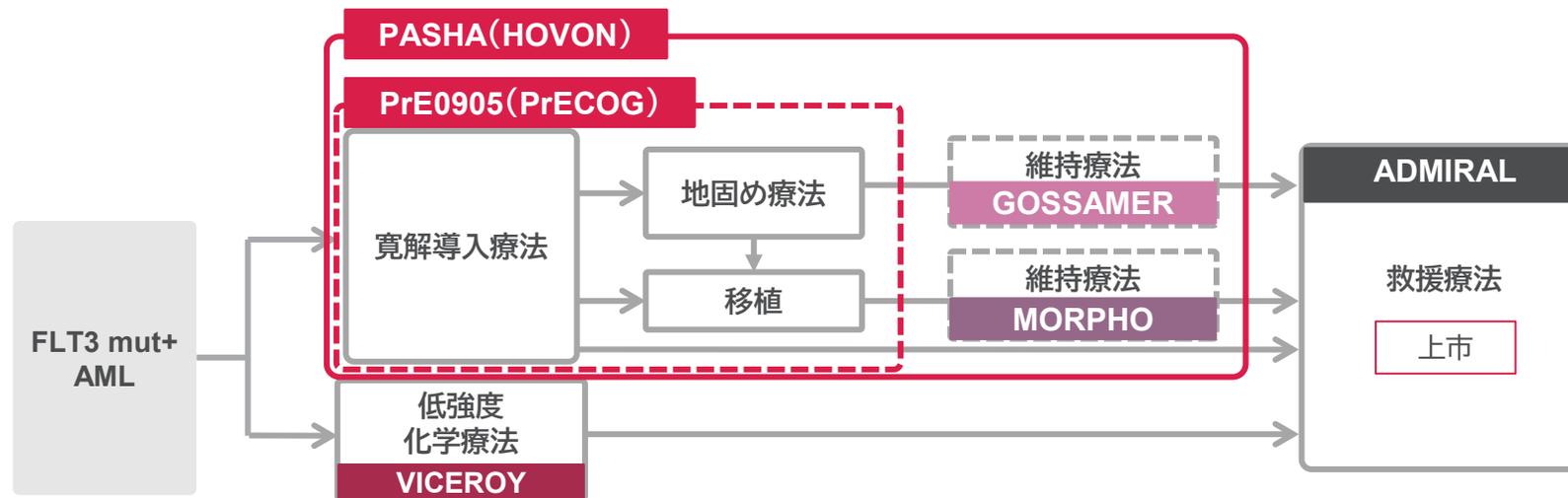
- ホルモン受容体陽性/HER2陰性乳がん
- トリプルネガティブ乳がん
- 扁平上皮非小細胞肺癌
- 非扁平上皮非小細胞肺癌
- 頭頸部がん
- 食道胃接合部腺がんを含む胃および食道腺がん
- 食道扁平上皮がん

**Pembro併用:

- 頭頸部扁平上皮がん

ギルテリチニブ: FLT3阻害剤

(青字: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=181	トップライン結果をASH 2024で発表 (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 第Ⅱ相に移行

- 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	2024年3月に日本で、2024年9月に欧州で、2024年10月に米国で、 2024年12月に中国で承認取得
	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+ロイコポリン+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+ロイコポリン+オキサリプラチン+ドセタキセル

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

- 初期のデータ解析で、慢性的なホルモン補充療法(HRT)の使用と心血管疾患および乳がんのリスクの増加との関連が示された
- WHIの報告以降、HRTの使用は急激に低下した
- その後の解析で、HRTは適切な患者で適切な方法(正しい時間、製剤、用量、期間)で開始されれば安全かつ有効であることが証明されたが、処方には元に戻らず、満足度のいくVMS対処法の選択肢が限られた女性がまだ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	2025年1月に米国でラベル改訂の再申請受理
	第Ⅲ相: GATHER2	NCT04435366	2 mg vs. 対照群	n=448	
Stargardt病	第Ⅱb相	NCT03364153	vs. 対照群	n=121	FSFT:2018年1月

変化する医療の最先端に立ち、
科学の進歩を
患者さんの「価値」に変える。

