



2025年度第2四半期 (中間期)決算概況

アステラス製薬株式会社
代表取締役社長CEO
岡村 直樹

2025年10月30日



注意事項

この資料に記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んでいます。様々な要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i)医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii)為替レートの変動、(iii)新製品発売の遅延、(iv)新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v)競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi)第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。

また、この資料に含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。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。

2025年度第2四半期 ハイライト

－ 想定を上回る好調な進捗、通期予想を大幅に上方修正 －

第2四半期 連結業績

売上収益

- ✓ 重点戦略製品が引き続き力強く成長し、売上収益が大きく増加(為替影響を除いた実質的な成長:前同比 +12%)

販管費*

- ✓ SMTが好調に進捗し、販管費率が大きく改善(前同比 -3.1ppt)

コア営業利益

- ✓ 重点戦略製品の拡大とSMTを通じた費用管理により、コア営業利益は大きく増加(為替影響を除いた実質的な成長:前同比 +57%)
- ✓ コア営業利益率は27.4%に上昇(前同比 +7.9ppt)

通期業績予想の修正

- ✓ 想定を上回る好調な進捗を踏まえ、売上収益(+1,000億円)・コアおよびフルの営業利益(ともに+800億円)を上方修正

パイプラインの進展

- ✓ PADCEV(MIBC): 画期的なEV-303試験データ、適応追加の申請受理(米国)
- ✓ ASP3082、ASP2138: 有望な初期臨床試験データ発表、申請用試験の実施に向けた準備開始

*米国XTANDI共同販促費用を除く

重点戦略製品: PADCEV、IZERVAY、VEOZAH、VYLOY、XOSPATA

SMT(Sustainable Margin Transformation): 概要はスライド24参照。MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん

本日の内容

I

**2025年度第2四半期 連結業績
2025年度通期業績予想の修正**

II

パイプラインの進展

2025年度第2四半期業績

売上収益・コア営業利益・フル営業利益、いずれも対前同で約1,000億円増加

(億円)	2024年度 2Q実績	2025年度 2Q実績	増減額	増減率	2025年度 期初予想*	為替影響 (対前同)	実質的な成長 (為替影響なし)
売上収益	9,356	10,301	+945	+10.1%	19,300	-222	+12%
売上原価	1,738	2,004	+265	+15.3%	3,730	-14	
販管費	4,064	4,038	-26	-0.6%	8,050	-125	
内、米国XTANDI共同販促費用	1,260	1,272	+11	+0.9%	2,290	-56	
上記を除く販管費	2,804	2,767	-37	-1.3%	5,760	-69	
(販管費率**)	30.0%	26.9%	-3.1ppt		29.8%		
研究開発費	1,723	1,433	-290	-16.9%	3,420	-38	
(研究開発費率)	18.4%	13.9%	-4.5ppt		17.7%		
コア営業利益	1,831	2,826	+996	+54.4%	4,100	-45	+57%
(コア営業利益率)	19.6%	27.4%	+7.9ppt		21.2%		

<フルベース>

無形資産償却費	692	655	-37	-5.4%	
その他の収益	45	52	+7	+16.0%	
その他の費用	269	254	-16	-5.8%	
営業利益	937	1,994	+1,057	+112.8%	1,600
税引前中間利益	890	1,946	+1,056	+118.6%	1,500
中間利益	735	1,476	+741	+100.8%	1,300

*2025年4月公表、**米国XTANDI共同販促費用を除く
期初予想の為替レート:1ドル140円、1ユーロ160円。2025年度2Qの為替レート(実績):1ドル146円、1ユーロ168円(2024年度2Qの為替レート(実績):1ドル152円、1ユーロ166円)



2025年度第2四半期業績：主要製品

重点戦略製品は**2,200億円以上**に拡大、特に**PADCEV**と**VYLOY**の力強い成長が牽引

(億円)	2025年度2Q実績	前年同期比 (為替影響あり)	実質的な成長 (為替影響なし)	
重点戦略製品計	2,205	+662 (+43%)	+47%	✓ 全体の売上収益および利益の成長に大きく貢献 ✓ 年度後半も力強い成長モメンタムの継続を見込む
 PADCEV™	1,025	+271 (+36%)	+39%	✓ 1L mUCの浸透がグローバル成長を力強く牽引 ✓ グローバル展開は堅調に推移、1L mUCの承認国は25カ国まで拡大 ✓ 次の成長ドライバーはMIBC、承認取得後の売上拡大に期待
 izervay™	341	+60 (+21%)	+27%	✓ 市場環境変化による患者の経済負担増が新規患者・売上に影響、通期予想を下方修正 ✓ 新規患者の回復(8月から回復の兆候)、長期の有効性データ(抑制効果が継続)と良好な安全性・忍容性プロファイルの浸透などにより、年度後半も成長を見込む
 VEOZAH™	229	+81 (+55%)	+61%	✓ 米国の堅調な成長が全体を牽引、今後も安定した成長トレンドを見込む ✓ 新たな非ホルモン治療薬の承認により、市場のさらなる拡大に期待
 VYLOY™	266	+253 (>+100%)	>+100%	✓ 想定を大きく上回る好調な進捗 ✓ 高いClaudin検査率の浸透と低い治療中止率が貢献 ✓ グローバル全体の力強い成長モメンタムを踏まえ、通期予想を大幅に上方修正
 XOSPATA®	344	-4 (-1%)	+1%	✓ 地域差はあるものの、全体としては概ね順調に推移 ✓ 既存適応症においては今後も緩やかな成長を見込む
 Xtandi®	4,770	+253 (+6%)	+8%	✓ 全ての地域で売上拡大 ✓ グローバル全体の好調なトレンドを踏まえ、通期予想を上方修正

2025年度2Qの為替レート(実績): 1ドル146円、1ユーロ168円(2024年度2Qの為替レート(実績): 1ドル152円、1ユーロ166円)
1L: 一次治療、mUC: 転移性尿路上皮がん、VEOZAH: 米国外ではVEOZAの製品名で承認取得、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん IZERVAYのAAO発表データはスライド34-35参照

2025年度第2四半期業績：費用項目

- SMTによるコスト最適化は想定以上の進捗(計約160億円)
- 販管費率は対前同で**3.1ppt改善**

費用項目	対前同	対売上収益比率	
販管費*	1.3%減少 (為替影響を除くと 1.1%増加)	販管費率：26.9%	為替影響を除く対前同：約+30億円 ✓ SMTによるコスト最適化：約70億円 (組織再編、成熟製品の費用削減、ITインフラの合理化など) 重点戦略製品の最大化および将来のコスト最適化に向けたSMTへの投資を継続
研究開発費	16.9%減少 (為替影響を除くと 14.6%減少)	研究開発費率：13.9%	為替影響を除く対前同：約-250億円 ✓ SMTによるコスト最適化：約70億円 (臨床試験を含む開発機能の内製化に伴う外注費削減など) ✓ 重点戦略製品の開発費用の減少：約-60億円 ✓ 前年度に計上した一過性の共同開発費用支払いの反動など Primary Focusの進展に伴う投資の拡大

*米国XTANDI共同販促費用を除く
SMT:Sustainable Margin Transformation

2025年度通期業績予想の修正

- 想定を上回る好調な進捗を踏まえ、**売上収益・コアおよびフルの営業利益を大幅に上方修正**
- コア営業利益率は**24.1%**を見込む(対期初予想 +2.9ppt)

通期業績予想の修正為替レート:1ドル145円、1ユーロ170円
(3Q以降の想定:1ドル144円、1ユーロ172円)

(億円)	2024年度 実績	2025年度			主な修正項目
		期初予想	修正予想	差異	
売上収益	19,123	19,300	20,300	+1,000	• VYLOY:+200、PADCEV:+100、XTANDI:+700
販管費	8,430	8,050	8,310	+260	
内、米国XTANDI共同販促費用	2,526	2,290	2,450	+160	
上記を除く販管費	5,905	5,760	5,860	+100	• 為替の影響を除くと減少
(販管費率*)	30.9%	29.8%	28.9%	-1.0ppt	• 好調なSMTの進捗を反映
研究開発費	3,277	3,420	3,220	-200	• 研究開発の組織再編に伴うオペレーションの効率化を反映
(研究開発費率)	17.1%	17.7%	15.9%	-1.9ppt	
コア営業利益	3,924	4,100	4,900	+800	• 好調なコアビジネスの進捗を反映
(コア営業利益率)	20.5%	21.2%	24.1%	+2.9ppt	

<フルベース>

営業利益	410	1,600	2,400	+800
------	-----	-------	-------	------

期初予想は2025年4月公表。期初予想の為替レート:1ドル140円、1ユーロ160円
*米国XTANDI共同販促費用を除く
SMT:Sustainable Margin Transformation



本日の内容

I

2025年度第2四半期 連結業績
2025年度通期業績予想の修正

II

パイプラインの進展

重点戦略製品：2025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)

PADCEV EV-303試験成功、米国で適応追加の申請受理

	1Q(4-6月)	2Q(7-9月)	3Q(10-12月)	4Q(1-3月)	
アバシンカプタド ペゴル/ IZERVAY	● 6月	Stargardt病/第Ⅱb相: 主要評価項目未達	★ 9月 承認(日本)	◆ GATHER2延長試験データ発表(AAO) 10月	<その他のアップデート> オーストラリア承認 (10月)
エンホルツマブ ベドチン/ PADCEV		MIBC(Cis不適応)/ EV-303中間解析: 主要評価項目達成 ★ 8月	◆ EV-303データ発表(ESMO) 10月 ★ MIBC(Cis不適応)/ 申請受理(米国) 10月 MIBC(Cis適応)/ EV-304中間解析*(申請用)	🎯 審査終了目標日 (米国) 4月	
		● 7月 その他固形がん/EV-202:開発中止 NMIBC/EV-104:開発中止			
ゾルベツキシマブ/ VYLOY			● 10月 膵臓がん/GLEAM最終解析: 主要評価項目未達		📌:データ判明

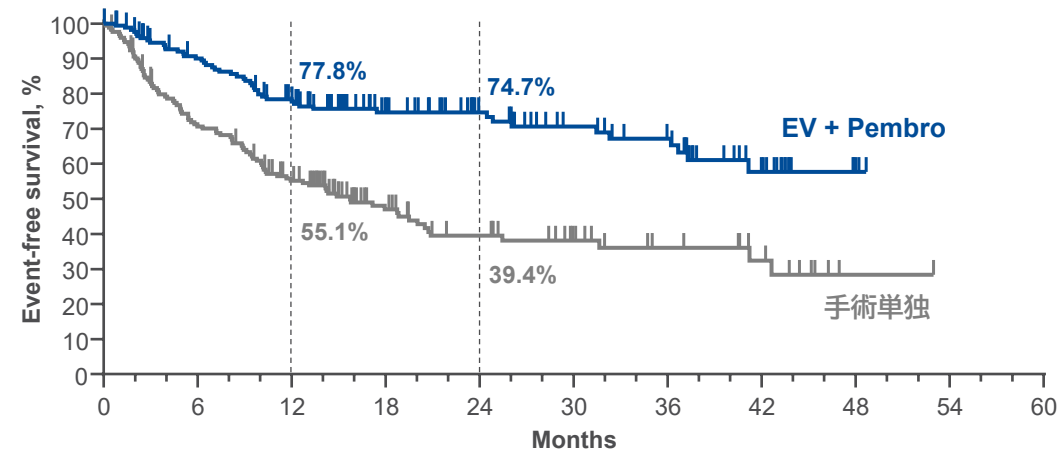
2025年10月時点。IZERVAYのAAO発表データはスライド34-35参照
*時期はイベント発生に依存するため変動の可能性あり
AAO:米国眼科学会、MIBC:筋層浸潤性膀胱がん、Cis:シスプラチン、ESMO:欧州臨床腫瘍学会、NMIBC:筋層非浸潤性膀胱がん



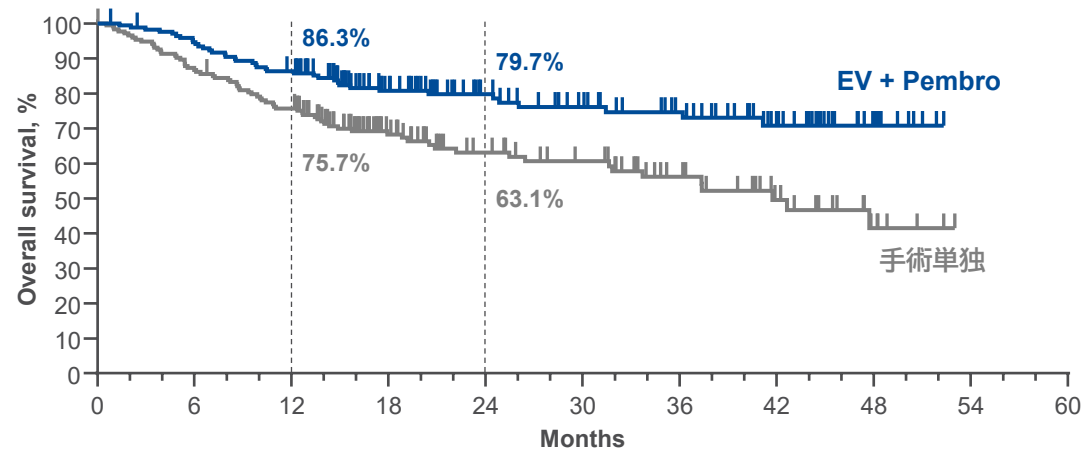
エンホルツマブ ベドチン(EV) / PADCEV: 最新状況

EV-303試験において画期的なデータ判明、シスプラチン不適応MIBCの新たな標準治療となる可能性

<無イベント生存期間(EFS)>



<全生存期間(OS)>



	N	イベント数	ハザード比 (95% CI)	P値 (片側検定)	中央値(95% CI)、月
EV + Pembro	170	48	0.40 (0.28, 0.57)	<0.0001	NR (37.3, NR)
手術単独	174	95			15.7 (10.3, 20.5)

	N	イベント数	ハザード比 (95% CI)	P値 (片側検定)	中央値(95% CI)、月
EV + Pembro	170	38	0.50 (0.33, 0.74)	0.0002	NR (NR, NR)
手術単独	174	68			41.7 (31.8, NR)

<MIBCの開発状況>

- シスプラチン不適応/EV-303: 10月に米国で適応追加の申請受理(優先審査指定、審査終了目標日: 2026年4月7日)
- シスプラチン適応/EV-304: 2025年度後半に中間解析の結果判明見込み



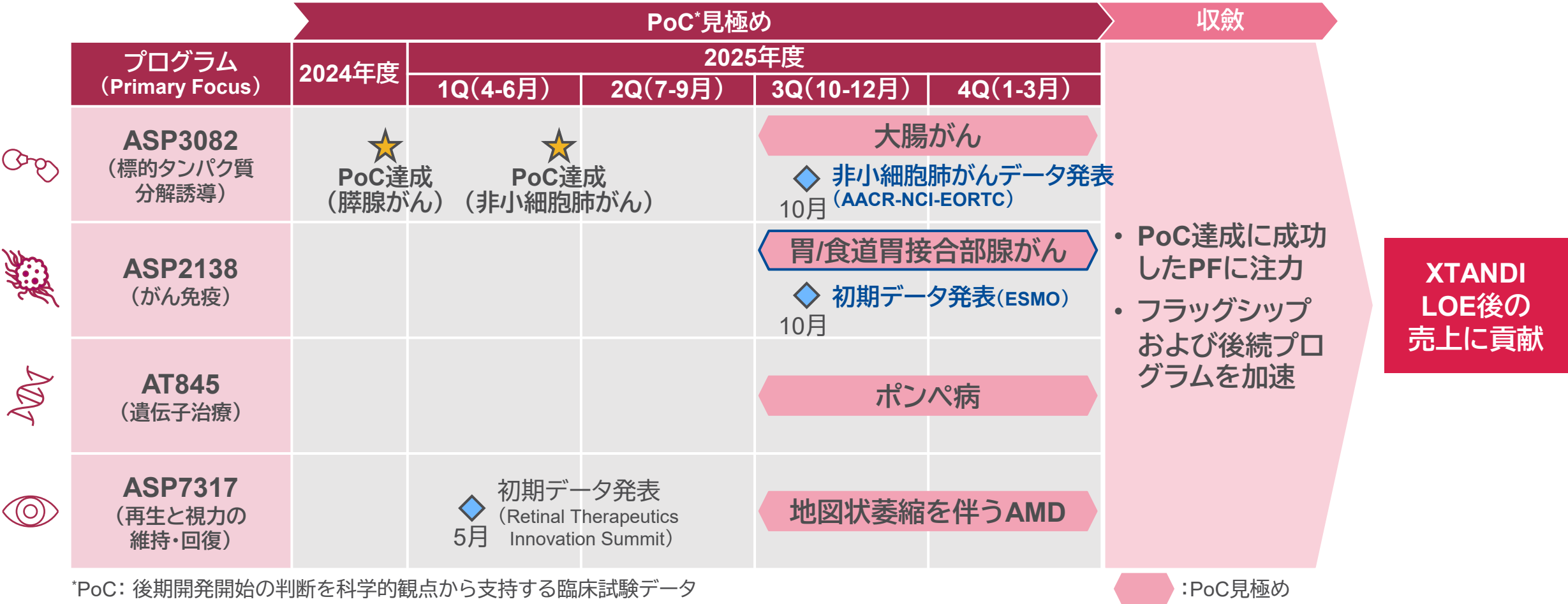
ESMO 2025で発表(データカットオフ: 2025年6月6日)。詳細は[Astellas Oncology Pipeline Online Meeting資料](#)参照(日本時間2025年10月24日開催)
MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、Pembro: ペムブロリズマブ、CI: 信頼区間、NR: 未到達



Focus Areaアプローチの進展

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

ASP3082とASP2138で有望なデータ発表



その他のプログラムの現況はスライド41、各フラッグシッププログラムの概要はスライド42-43参照
PoC: コンセプト検証、AACR: 米国癌学会、NCI: 米国国立がん研究所、EORTC: 欧州がん研究機関、ESMO: 欧州臨床腫瘍学会、PF: Primary Focus、LOE: 独占販売期間満了



ASP3082 / Primary Focus 標的タンパク質分解誘導の進展

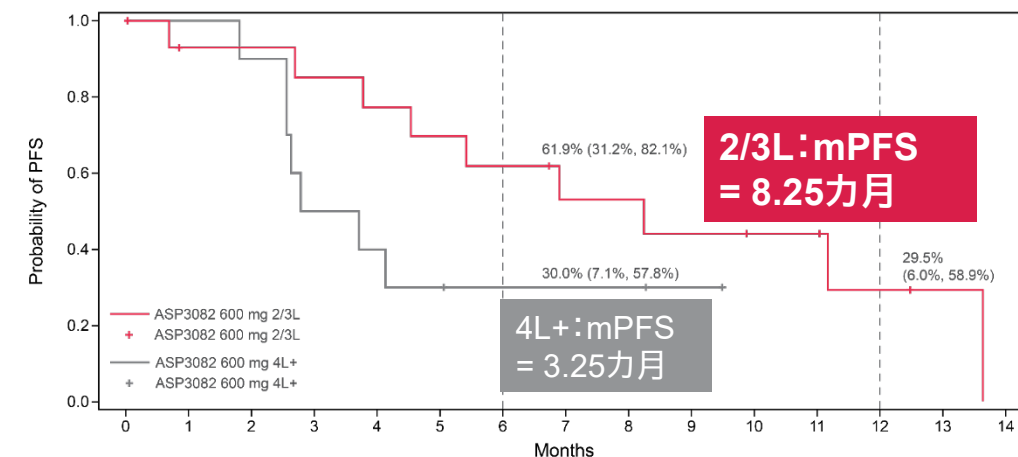
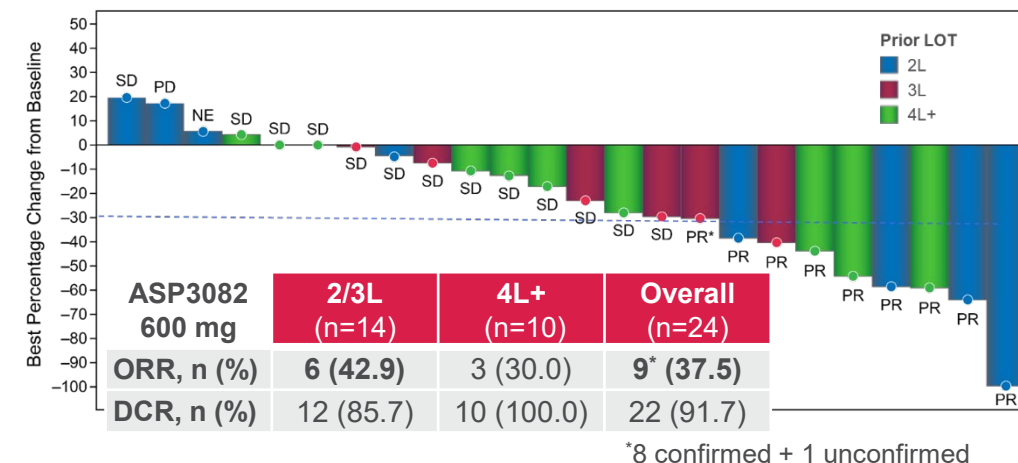
NSCLCにおける有望なデータを発表、PDACおよびNSCLCを対象とした申請用試験の準備を開始

最新データ¹

- 進行NSCLC患者においてASP3082単剤療法の有望な抗腫瘍活性を確認
 - ✓ ORR = 37.5%(9/24; 全体)、42.9%(6/14; 2/3L)
 - ✓ mDoR = 9.72カ月
 - ✓ mPFS = 8.25カ月(2/3L)
- 安全性は概ね管理可能
 - ✓ 投与中止に至った治療関連有害事象なし(0/25)

現況

- PDAC: 2025年度後半に1Lでの申請用試験開始およびデータ発表を目指す
- NSCLC: 申請用試験実施に向けた計画を検討中
- CRC: 2025年度後半にPoC見極め予定
- 後続プログラムの研究開発が進行中
 - ✓ ASP5834(Pan-KRAS分解誘導剤):
8月に第I相試験のFSD達成(IND受理後27日)



1. AACR-NCI-EORTC 2025; 詳細は [Astellas Oncology Pipeline Online Meeting資料](#) 参照 (日本時間2025年10月24日開催)

NSCLC: 非小細胞肺癌, PDAC: 膵臓がん, ORR: 客観的奏効率, 2/3L: 二次および三次治療, (m)DoR: 奏効期間(の中央値), PFS: 無増悪生存期間, 1L: 一次治療, CRC: 大腸がん, PoC: コンセプト検証, KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue, FSD: 最初の症例への投与, IND: 治験許可申請, 4L+: 四次治療以降, DCR: 病勢コントロール率, LOT: 治療ライン

ASP2138 / Primary Focusがん免疫の進展

皮下投与・標準治療との併用による有用性を確認、PoC達成に向けて進展

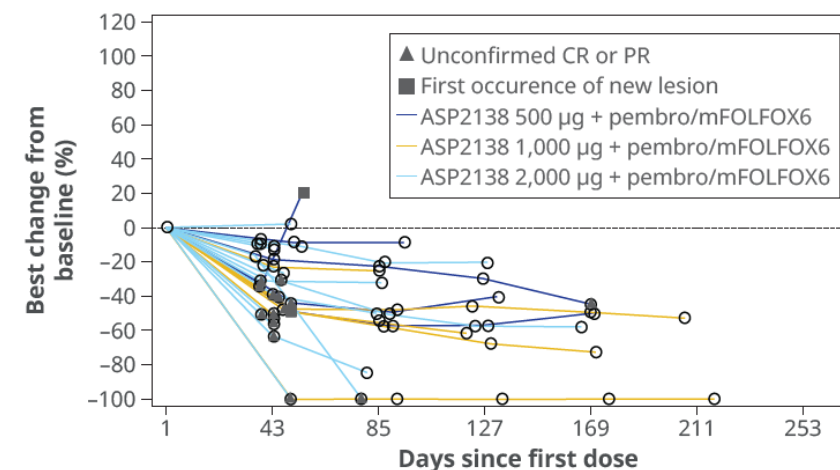
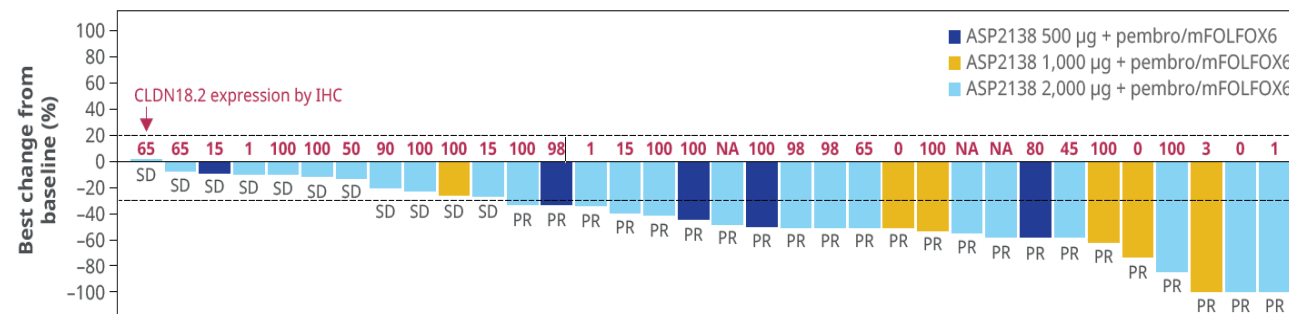
最新データ¹

- 安全性および忍容性データは標準治療の化学療法やチェックポイント阻害剤との併用可能性を支持
- ASP2138の皮下投与・標準治療との併用により、G/GEJ腺がんにおいて臨床的に意義のある抗腫瘍活性を確認
 - ✓ 1L: ORR* = 62.5%(15/24); 12週DCR = 100.0%(6/6)
 - ✓ 2L: ORR* = 37.5%(9/24); 12週DCR = 60.0%(9/15)
 - *unconfirmed ORR、2,000 µg
- CLDN18.2高発現および中～低発現の両患者層で有望なレスポンス

現況

- 申請用試験実施に向けた計画を検討中
- 後続プログラムの研究開発が進行中
 - ✓ 二重特異性免疫細胞誘導: 複数のプログラムが進行中
 - ✓ iADC (immunostimulatory ADC): 臨床試験実施に向けて検討中

1L G/GEJ腺がん、ASP2138皮下投与 Q2W + Pembro + mFOLFOX6



1. ESMO 2025; 詳細は [Astellas Oncology Pipeline Online Meeting資料](#) 参照 (日本時間2025年10月24日開催)

PoC: コンセプト検証、G/GEJ: 胃/食道胃接合部、1L: 一次治療、ORR: 客観的奏効率、DCR: 病勢コントロール率、2L: 二次治療、CLDN18.2: Claudin 18.2、ADC: 抗体-薬物複合体、Q2W: 2週に1回、Pembro: ペムブロリズマブ、mFOLFOX6: 5-FU + ロイコボリン + オキサリプラチン

Key Takeaways

想定を上回る好調な2Q実績

- PADCEVとVYLOYが重点戦略製品の力強い成長を牽引
- SMTの好調な進捗を通じたコスト最適化

通期予想を大幅に上方修正

- 売上収益(+1,000億円)・コアおよびフルの営業利益(ともに+800億円)を上方修正

パイプラインが堅調に進展

- PADCEV EV-303試験(MIBC)における画期的なデータ
- ASP3082・ASP2138における有望なデータ

重点戦略製品: PADCEV、IZERVAY、VEOZAH、VYLOY、XOSPATA
SMT: Sustainable Margin Transformation、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん

参考資料



重点戦略製品：ピーク時売上予想(2025年10月時点)

製品	ピーク時売上予想 (グローバル、億円)
PADCEV (エンホルツマブ ベドチン) [*]	4,000 - 5,000
IZERVAY (アバシンカプタド ペゴル)	2,000 - 4,000 (米国のみ)
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)

キャピタルアロケーション方針

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

<適切なレバレッジ水準>

- **Gross Debt*/EBITDA** 率:1.0～1.5倍**

キャピタルアロケーション方針に沿いつつ、2025年度も更なる負債圧縮を進めていく

なお、一時的な財務基盤悪化をともなったとしても、企業価値向上に資すると判断される大型投資案件を実行する場合、上記水準に拠らず、Gross Debt/EBITDA 率 3.0倍上限を目安に対応

*Gross Debt＝有利子負債＋リース負債・退職給付に係る負債など

**EBITDA＝税引前利益＋償却費（無形資産（ソフトウェアなど含む））＋減価償却費（有形固定資産）＋支払利息＋その他の費用

為替レート(実績)

期中平均レート

通貨	2024年度2Q	2025年度2Q	変動
ドル	152円	146円	6円高
ユーロ	166円	168円	2円安

<為替の業績への影響>

- 売上収益:222億円の減少
- コア営業利益:45億円の減少

2025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)	2025年度期初予想	2025年度修正予想	変動
ドル	140円	145円	5円安
ユーロ	160円	170円	10円安

3Q以降の為替レートの想定: 1ドル144円、1ユーロ172円

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39億円増加	約8億円増加
ユーロ	約17億円増加	約8億円増加

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)	2025年3月末	2025年9月末
総資産	33,395	34,503
現金及び現金同等物	1,884	2,871
親会社所有者帰属持分	15,133	16,124
親会社所有者帰属持分比率(%)	45.3%	46.7%

(億円)	2024年度2Q	2025年度2Q
営業CF	774	2,826
投資CF	-557	-302
フリーCF	217	2,524
財務CF	-663	-1,558
短期借入金及びコマーシャル・ペーパーの増減額	-1,599	-655
社債の発行及び長期借入れによる収入	2,000	-
社債の償還及び長期借入金の返済による支出	-260	-255
配当金支払額	-628	-662

資金調達残高のハイライト

(億円)	2025年6月末	2025年9月末
資金調達残高	8,895	7,405
非流動負債	5,581	3,200
社債	3,200	2,200
長期借入金	2,381	1,000
流動負債	3,314	4,205
コマーシャル・ペーパー	2,307	999
短期借入金	200	200
1年以内返済予定の長期借入金	507	1,706
1年以内償還予定の社債	300	1,300

主な無形資産一覧(2025年9月末時点)

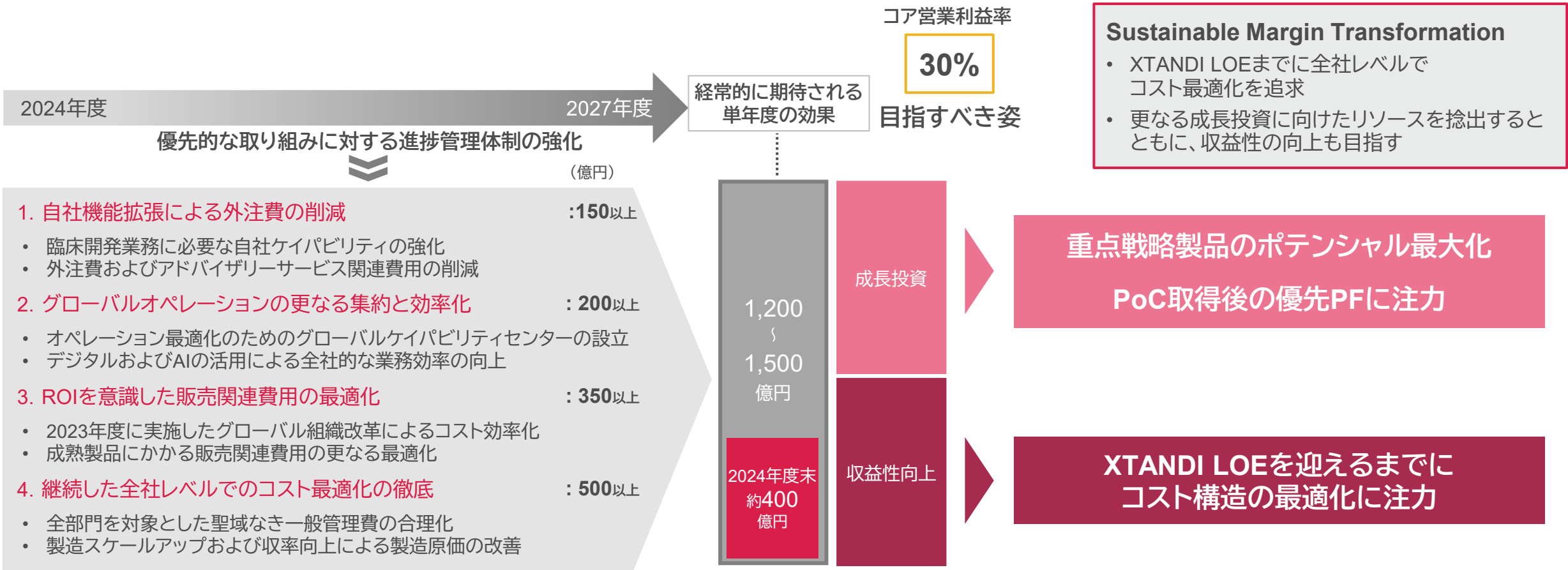
	円貨(億円)	外貨**
AT132	161	\$109M
AT845	107	\$73M
遺伝子治療関連技術*	601	\$406M
VEOZAH**	838	€493M
VYLOY**	571	€440M
IZERVAY(米国)	5,788	\$3,914M
IZERVAY(米国外)	510	\$345M
ASP7317	255	\$172M

VEOZAH: 米国外ではVEOZAの製品名で承認取得
*Audentes(現Astellas Gene Therapies)買収時に取得
**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



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



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

成長の基盤となる開発パイプライン

第Ⅰ相

■	ギルテリチニブ (ALK融合遺伝子陽性非小細胞肺癌)
■	ASP1570
■	ASP2138
■	ASP1002
■	ASP3082
■	ASP4396
■	ASP5834
■	ASP7317
■	ASP546C/XNW27011
■	ASP5502

第Ⅱ相

■	ギルテリチニブ (未治療AML、強力な化学療法不適応)
■	ゾルベツキシマブ (膵臓がん)
■	resamirigene bilparvovec/ AT132 (XLMTM)
■	zocaglusagene nuzaparvovec/ AT845 (ポンペ病)
■	アビラテロンデカン酸エステル/ ASP5541/PRL-02 (前立腺がん)

第Ⅲ相

■	エンホルツマブ ベドチン (シスプラチン適応MIBC)
■	ギルテリチニブ (より早期ステージのAML、小児)
■	ゾルベツキシマブ (胃臓がんおよび食道胃接合部腺がん、 ペムブロリズマブおよび化学療法併用)
■	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)
■	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 (シスプラチン不適応MIBC: 米国)
---	-------------------------------------

- 重点戦略製品
- Focus Areaアプローチ
- その他

ALK: 未分化リンパ腫キナーゼ、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、MIBC: 筋層浸潤性膀胱がん、VMS: 血管運動神経症状

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



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
 PADCEV [®] enfortumab vedotin Injection for IV infusion 20 mg & 30 mg vials	筋層浸潤性膀胱がん	シスプラチン不適応:承認申請審査中(米国)	審査終了目標日:2026年4月7日
		シスプラチン適応:第Ⅲ相EV-304試験進行中	2025年度後半にデータ判明見込み (中間解析)
 izervay [™] (avacincaptad pegol intravitreal solution) 2 mg	地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性	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)
 VEOZAH [™] (fezolinetant) tablets 45 mg	閉経に伴うVMS	日本:第Ⅲ相STARLIGHT 2および3試験進行中 中国:第Ⅱ相試験進行中	2025年度以降にデータ判明見込み 2026年度にデータ判明見込み
	乳がん患者におけるVMS	第Ⅲ相HIGHLIGHT 1試験進行中	2027年度にデータ判明見込み
 VYLOY [™] zolbetuximab for injection 100mg vial	胃腺がんおよび食道胃接合部 腺がん	ペムブロリズマブおよび化学療法との併用を 評価する第Ⅲ相LUCERNA試験進行中	2027年度以降にデータ判明見込み (中間解析)
 XOSPATA [®] gilteritinib 40mg tablets	未治療AML (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相PASHA試験進行中	2026年度前半にデータ判明見込み (主要解析)
	ALK融合遺伝子陽性NSCLC	第Ⅰ相試験進行中	2027年度以降にデータ判明見込み

2025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
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、ALK:未分化リンパ腫キナーゼ、NSCLC:非小細胞肺がん

エンホルツマブ ベドチン(EV)(1/5): ネクチン-4を標的とするADC 開発の概要

<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	20,000***
	Cis適応	EV-304 (Pembro併用)	2025年度以降	32,000***
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]	102,000
2L+ mUC (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	44,000

*米国、ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス、日本、中国(アステラスによる算定)
 **シスプラチンを用いた化学療法に不適応または拒否
 ***中国を除く

エンホルツマブ ベドチン(EV)(2/5): 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-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	2025年10月に米国で申請受理
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=808	症例組み入れ終了
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



MIBC:筋層浸潤性膀胱がん、Pembro:ペムブロリズマブ、RC:膀胱全摘除術、mUC:転移性尿路上皮がん



エンホルツマブ ベドチン(EV)(3/5): 尿路上皮がん病期別臨床試験データ

(青字:前回の決算発表以降の進捗)

病期	早期		後期						
	筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)		転移性尿路上皮がん(mUC)						
	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	808(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)	標準治療	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: HR 0.40*	✓ PFS:HR 0.48** ✓ OS:HR 0.51**	✓ 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)	✓ HR 0.50* (NR vs.41.7ヵ月)	✓ HR 0.51** (33.8ヵ月 vs.15.9ヵ月)	n/a	✓ (21.7ヵ月)	✓ (26.1ヵ月**)	✓ (14.7ヵ月)	✓ (12.4ヵ月**)	✓ HR 0.70* (12.9ヵ月 vs.9.0ヵ月)
EFS(MIBC)/ PFS(mUC)	(試験進行中)	✓ HR 0.40* (NR vs.15.7ヵ月)	✓ HR 0.48** (12.5ヵ月 vs.6.3ヵ月)	n/a	✓ (8.2ヵ月)	✓ (12.7ヵ月**)	✓ (5.8ヵ月)	✓ (5.8ヵ月)	✓ HR 0.62* (5.6ヵ月 vs.3.7ヵ月)
pCR(MIBC)/ ORR(mUC)	(試験進行中)	✓ 57.1% vs. 8.6%*	✓ 67.5% vs. 44.2%** (CR 30.4% vs. 14.5%)	✓ 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)	n/a	✓ 23.3ヵ月 vs. 7.0ヵ月**	n/a	✓ 13.2ヵ月	✓ 22.1ヵ月**	✓ 13.8ヵ月**	✓ 7.6ヵ月	✓ 7.4ヵ月 vs. 8.1ヵ月*

✓:結果入手済、*:事前に設定した中間解析、**:最新結果



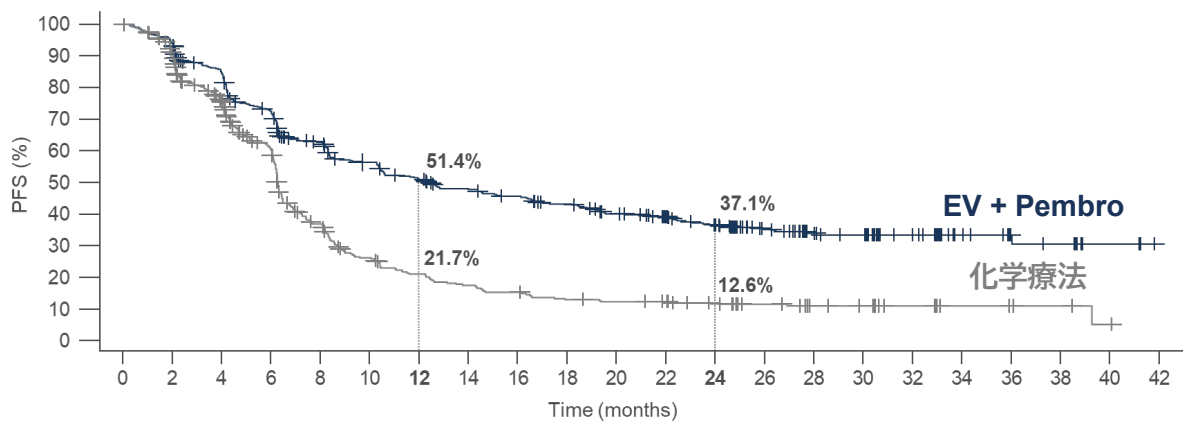
Cis:シスプラチン、Pembro:ペムブロリズマブ、EFS:無イベント生存期間、HR:ハザード比、PFS:無増悪生存期間、ORR:客観的奏効率、(p)CR:(病理学的)完全奏効、NR:未到達



エンホルツマブ ベドチン(EV)(4/5): 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)

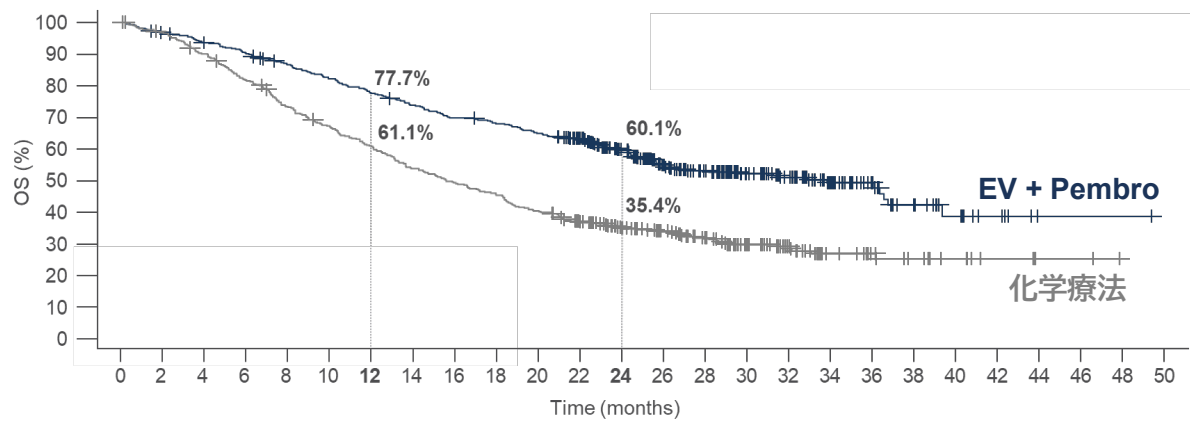
化学療法に対して統計学的に有意かつ臨床的に意義のある改善:mOSおよびmPFSを約2倍に延長

<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	262	0.48 (0.41, 0.57)	<0.00001	12.5 (10.4, 16.6)
化学療法	444	317			6.3 (6.2, 6.5)

<全生存期間(OS)>

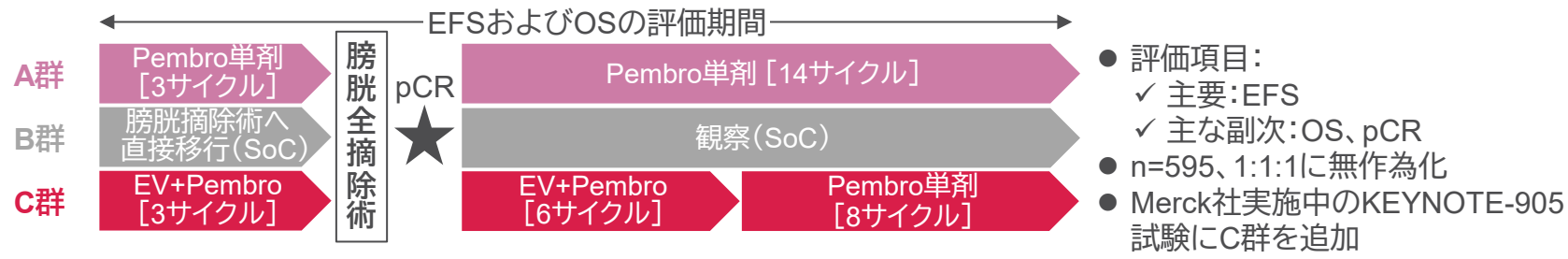


	N	イベント数	ハザード比 (95% CI)	P値 (両側検定)	mPFS(95% CI)、月
EV + Pembro	442	203	0.51 (0.43, 0.61)	<0.00001	33.8 (26.1, 39.3)
化学療法	444	297			15.9 (13.6, 18.3)

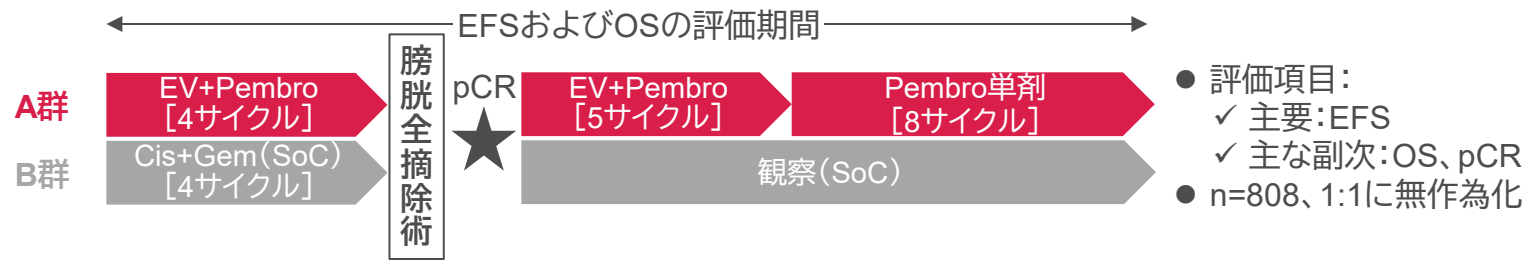
- 化学療法:シスプラチン or カルボプラチン + ゲムシタビン
- 化学療法群の30.4%でアベルマブ維持療法が施行

エンホルツマブ ベドチン(EV)(5/5): 筋層浸潤性膀胱がん(MIBC)を対象とした開発

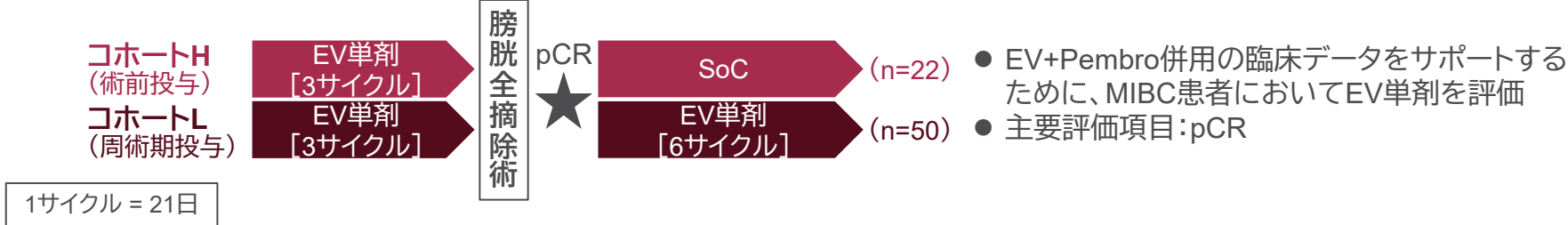
1) シスプラチン不適応MIBC患者対象 第Ⅲ相試験(KEYNOTE-905/EV-303): EV+Pembro周術期投与 vs. 膀胱摘除術のみ



2) シスプラチン適応MIBC患者対象 第Ⅲ相試験(KEYNOTE-B15/EV-304): EV+Pembro周術期投与 vs. 術前化学療法



3) シスプラチン不適応MIBC患者対象 第 I b/Ⅱ 相試験(EV-103試験のコホート): EV単剤の術前投与 / 周術期投与



<試験結果>

コホート	pCR	pDS
H	36.4%	50.0%
L	34.0%	42.0%



Pembro: ペムブロリズマブ、EFS: 無イベント生存期間、OS: 全生存期間、SoC: 標準治療、pCR: 病理学的完全奏効、pDS: 病理学的ダウンステージ、Cis: シスプラチン、Gem: ゲムシタビン



アバシンカプタド ペゴル(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
- 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²

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

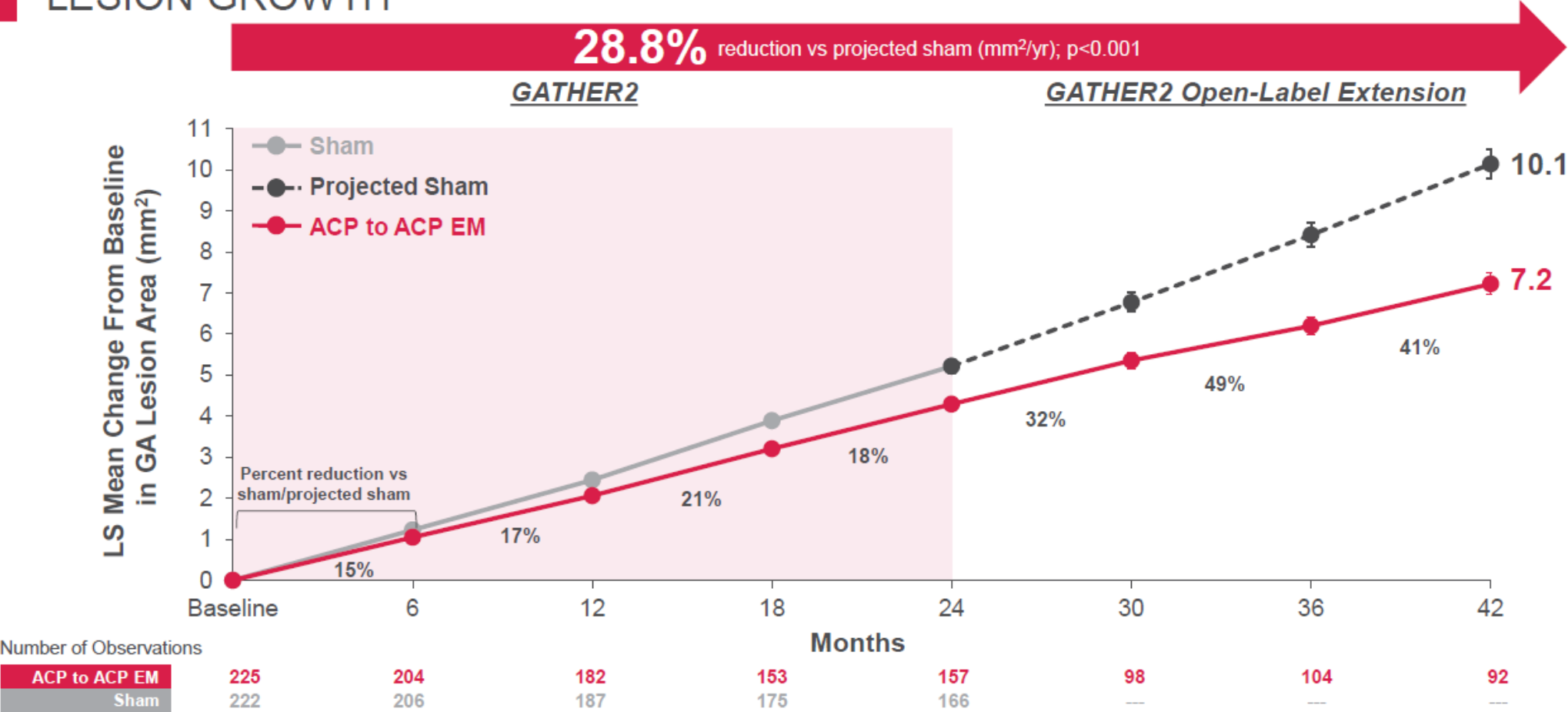
地図状萎縮を伴う 加齢黄斑変性	第Ⅱ/Ⅲ相: GATHER1	NCT02686658	第1群: 1 mg、2 mg vs. 対照群(n=77) 第2群: 2 mg、4 mg vs. 対照群(n=209)	n=286	2025年9月に日本で承認
	第Ⅲ相: GATHER2	NCT04435366	2 mg vs. 対照群	n=448	

1. Retina. 2017;37:819-835、2. JAMA Ophthalmol. 2021;139:743-750
PEG: ポリエチレングリコール



IZERVAY: 米国眼科学会(AAO) 2025発表データ(1/2)

ACP 2 MG SHOWED INCREASING BENEFIT OVER TIME IN SLOWING GA LESION GROWTH



Note: For each group (ACP or sham) in GATHER2 ITT population, a separate piecewise MMRM model was applied using square root transformed GA area data from baseline through Month 42, with study ID, GATHER2 randomization stratification factors, time (in days) in each study, and 6-month knots in each study. GA lesion growth rates were then converted from the square root transformed scale to the untransformed scale. A jackknife method was used to compute the associated standard error. For projected sham, GA lesion growth rate from Month 24 to Month 42 was first calculated as the average of the transformed GA growth rates from the four 6-month intervals spanning from baseline through Month 24 in GATHER2 sham group and subsequently converted to the untransformed scale. ACP, avacincaptad pegol; EM, every month; GA, geographic atrophy; ITT, intent-to-treat; LS, least squares; MMRM, mixed model for repeated measures.

IZERVAY: 米国眼科学会(AAO) 2025発表データ(2/2)

SAFETY PROFILE OF ACP DURING 18-MONTH OPEN-LABEL EXTENSION WAS CONSISTENT WITH GATHER2 TRIAL

Ocular TEAEs ≥2% During Open-Label Extension	ACP to ACP EM (N=125)	Sham to ACP EM (N=151)
Ocular TEAEs in the study eye, n (%)	74 (59.2)	88 (58.3)
IOP increased	19 (15.2)	20 (13.2)
Cataract	16 (12.8)	11 (7.3)
Conjunctival hemorrhage	13 (10.4)	15 (9.9)
Vitreous detachment	7 (5.6)	1 (0.7)
Visual acuity reduced	7 (5.6)	20 (13.2)
New-onset CNV ^a	7 (5.6)	14 (9.3)
Punctate keratitis	4 (3.2)	9 (6.0)
Transient visual loss	4 (3.2)	3 (2.0)
Posterior capsule opacification	3 (2.4)	7 (4.6)

- 1 case of endophthalmitis in the sham to ACP group (0.7%)
- 5 cases of IOI out of 4203 total injections (0.1%) – all events were anterior
 - None were serious or related to ACP; all resolved with no reoccurrence during continued use of ACP
- **No cases of retinal vasculitis or occlusive vasculitis**

^aNew-onset CNV includes patients with CNV incidence during open-label extension portion but not CNV that occurred during the GATHER2 trial.
ACP, avacincaptad pegol; CNV, choroidal neovascularization; EM, every month; IOI, intraocular inflammation; IOP, intraocular pressure; TEAE, treatment-emergent adverse event.

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)	n=410	症例組み入れ終了
	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=277	症例組み入れ終了
中国	第Ⅱ相	NCT06812754	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、45 mg vs. プラセボ(1:1)	n=150	FSD:2025年4月

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	FSD:2024年8月
-----------------	-----------------------------	--	-------	-------------

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
NK3:ニューロキニン3、FSD:最初の症例への投与



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

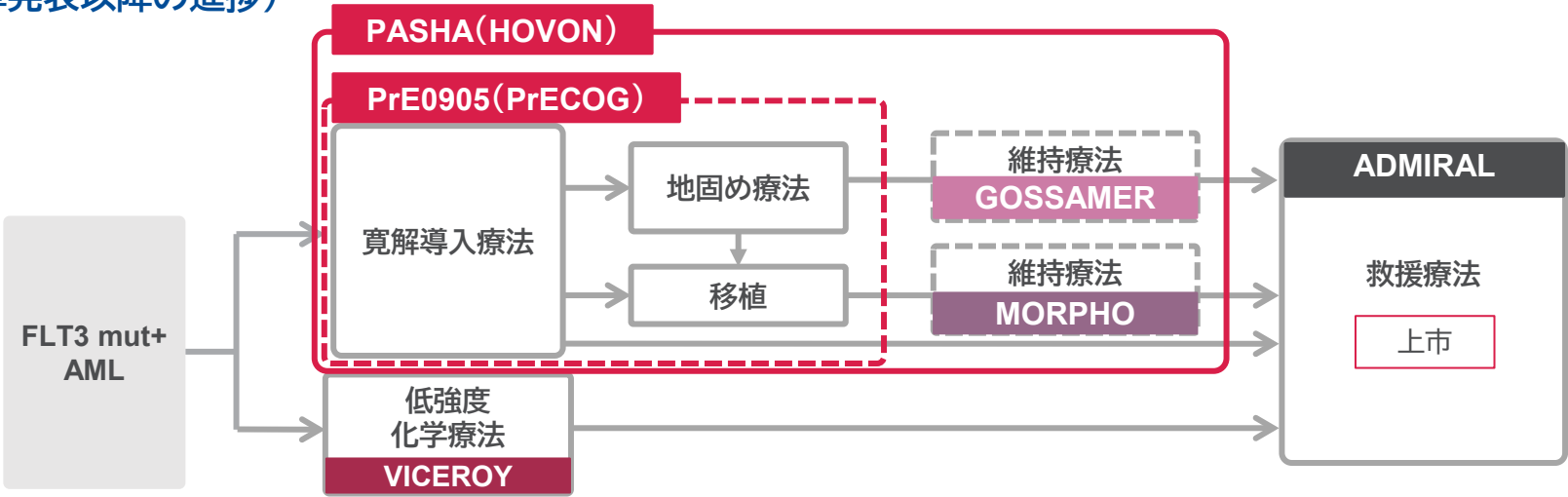
胃腺がんおよび 食道胃接合部腺がん	第Ⅲ相: LUCERNA	NCT06901531	一次治療、ペムブロリズマブおよび化学療法との併用、二重盲検、 vs. プラセボ	n=500	FSD:2025年6月
	第Ⅱ相: ILUSTRO	NCT03505320	コホート1:三次以降の治療、ゾルベツキシマブ単剤 コホート2:一次治療、mFOLFOX6との併用 コホート3:三次以降の治療、ペムブロリズマブとの併用 コホート4:一次治療、mFOLFOX6およびニボルマブとの併用 コホート5:周術期、FLOTとの併用	n=143	症例組み入れ終了
膵腺がん	第Ⅱ相: GLEAM	NCT03816163	一次治療、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	主要評価項目未達

*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Claudin 18.2陽性と判定
FSD:最初の症例への投与、mFOLFOX6:5-FU+ロイコボリン+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



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)



急性骨髄性白血病

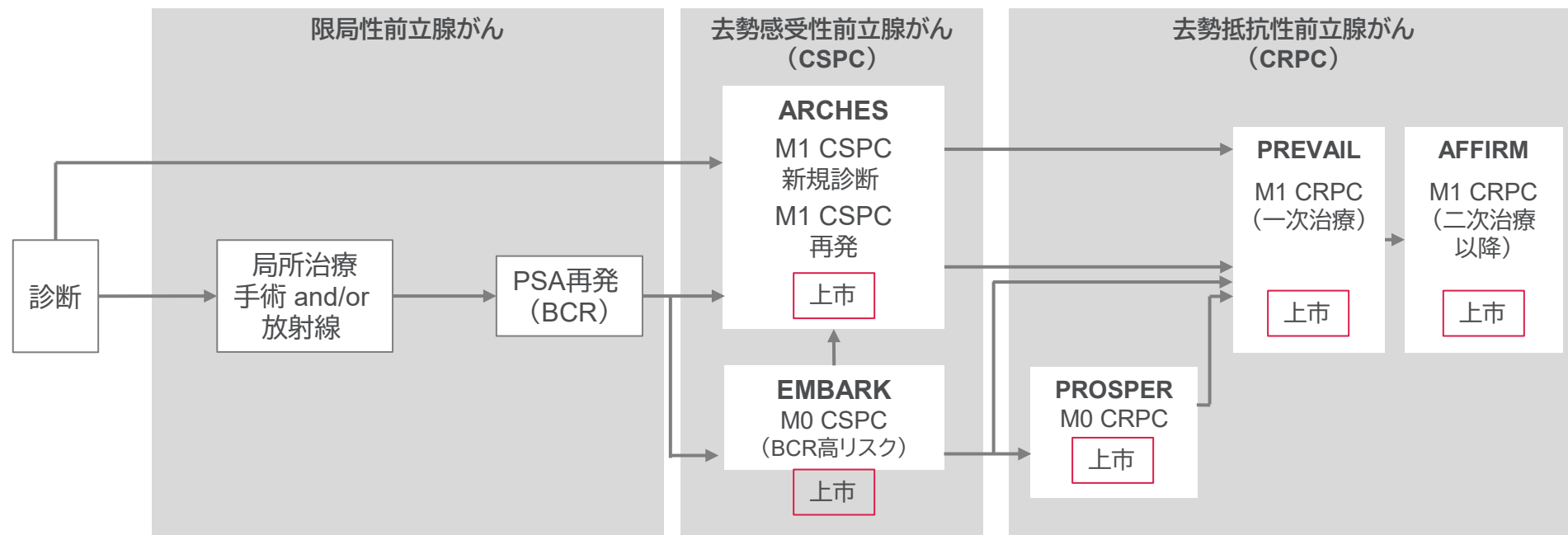
未治療 (強力な化学療法適応)	第Ⅲ相:PASHA(HOVON)	NCT04027309	強力な化学療法との併用、 ギルテリチニブとミドスタウリンの比較 (1:1)	n=766	症例組み入れ終了 (治験依頼者:HOVON)
	第Ⅱ相:PrE0905(PrECOG)	NCT03836209		n=181	トップライン結果をASH 2024で発表 (治験依頼者:PrECOG, LLC)
未治療 (強力な化学療法不適応)	第Ⅰ/Ⅱ相:VICEROY	NCT05520567	ベネトクラクスおよびアザシチジンとの 併用	n=70	FSD:2023年1月

非小細胞肺癌

ALK融合遺伝子陽性	第Ⅰ相	NCT07140016	単剤	n=40	FSD:2025年10月
------------	-----	-----------------------------	----	------	--------------

FLT3 mut+:FLT3遺伝子変異陽性、AML:急性骨髄性白血病、HOVON:The Haemato Oncology Foundation for Adults in the Netherlands、ASH:米国血液学会、FSD:最初の症例への投与、ALK:未分化リンパ腫キナーゼ

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

(青字: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 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)	✓ HR 0.60	✓ 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



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/Ⅱ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 初期データを2025年10月のESMOで発表
		ASP1002	● 抗CLDN4/抗CD137	第Ⅰ相試験進行中
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 非小細胞肺がんのデータを2025年10月のAACR-NCI-EORTCで発表
		ASP4396	● KRAS G12D分解	第Ⅰ相試験進行中
		ASP5834	● Pan-KRAS分解	第Ⅰ相試験のFSDを2025年8月に達成
遺伝子治療	遺伝子補充(AAV)	AT132	● MTM1遺伝子	FDAから2021年9月に臨床試験差し止め(clinical hold)指示
		★AT845	● GAA遺伝子	第Ⅰ/Ⅱ相試験進行中
再生と視力の維持・回復	細胞補充	★ASP7317	● 網膜色素上皮細胞	第Ⅰb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Ⅱ相試験のFSDを2025年9月に達成
	抗体-薬物複合体(ADC)	ASP546C (XNW27011)	● CLDN18.2標的ADC	グローバル第Ⅰb/Ⅱ相試験準備中
	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

★:フラッグシッププログラム

DGK:ジアシルグリセロールキナーゼ、CLDN:Claudin、ESMO:欧州臨床腫瘍学会、IL-2:インターロイキン-2、KRAS:Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、AACR:米国癌学会、NCI:米国国立がん研究所、EORTC:欧州がん研究機関、FSD:最初の症例への投与、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、PF:Primary Focus、STING:Stimulator of interferon genes

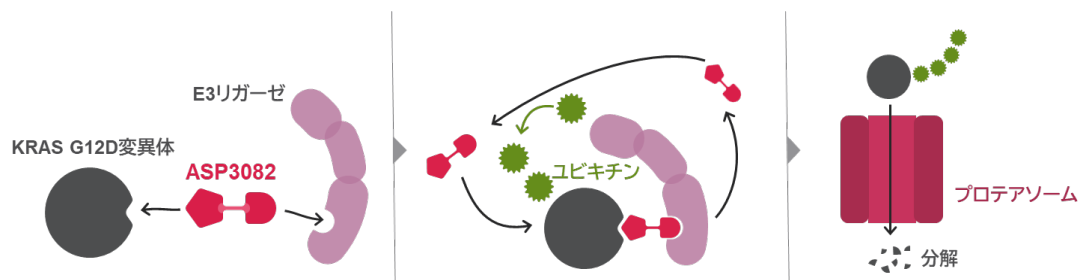


Primary Focusフラッグシッププログラムの概要(1/2)

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%、非小細胞肺がんの約5%、大腸がんの約15%¹
- 標準治療: 転移性膵臓がんでは化学療法、非小細胞肺がんでは免疫療法 +/- 化学療法(1L)、化学療法(2L+)
- 現況: 第 I 相試験進行中(NCT05382559)
 - ✓ 膵臓がん: 2L+(単剤)、1L(化学療法併用); PoC達成(2/3Lのデータに基づく)
 - ✓ 非小細胞肺がん: 2L+(単剤)、1L(標準治療併用); PoC達成(2L+のデータに基づく)
 - ✓ 大腸がん: 2L+(単剤、セツキシマブ併用); 2025年度後半にPoC見極め予定



*Claudin 18.2の染色がレベルによらず(1%以上; VYLOYでは75%以上)認められる患者の割合

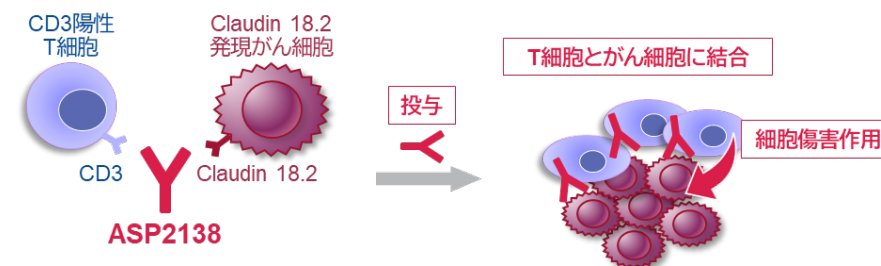
1. npj Precis Oncol. 2022;6:91, 2. Gastric Cancer. 2024;27:1058, 3. Int J Cancer. 2013;134:731

KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue, 1L: 一次治療, 2L(+): 二次治療(以降), 3L: 三次治療, PoC: コンセプト検証

ASP2138 (がん免疫)

Claudin 18.2・CD3を標的とする皮下投与可能な二重特異性抗体

- 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(G/GEJ)腺がんの約70%²、膵臓がんの約60%³
- 標準治療(HER2陰性・進行G/GEJ腺がん)
 - ✓ 1L: 化学療法 +/- 免疫チェックポイント阻害剤 or ゾルベツキシマブ(Claudin 18.2陽性*)
 - ✓ 2L: パクリタキセル + ラムシルマブ
- 現況: 第 I 相試験進行中(NCT05365581, NCT07024615)
 - ✓ 単剤: G/GEJ腺がん、膵臓がん
 - ✓ 標準治療との併用: 1L・2L G/GEJ腺がん、1L膵臓がん
 - ✓ 切除可能な膵臓がん: ASP2138術前投与 + 術後化学療法
- PoC見極め予定時期: 2025年度後半

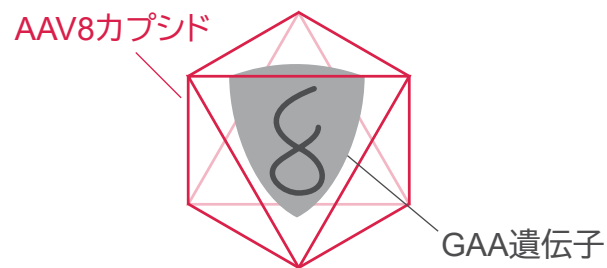


Primary Focusフラッグシッププログラムの概要(2/2)

AT845 (遺伝子治療)

ヒトGAA遺伝子を筋肉特異的に持続発現させる遺伝子組み換え
AAV8

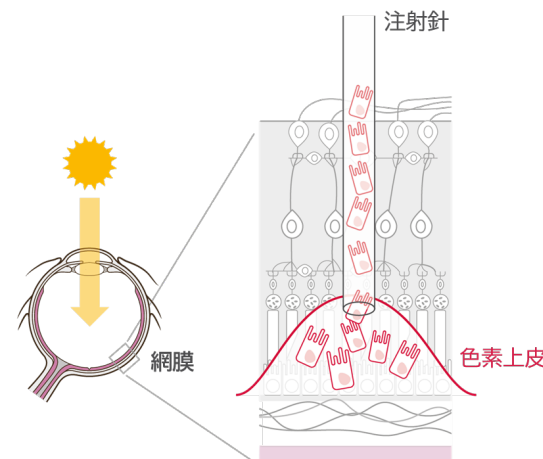
- 対象疾患: ポンペ病
 - ✓ 推定発症率: 約4万人に1人¹
- 標準治療: 酵素補充療法(ERT)
 - ✓ 2週間に1回の継続的な点滴投与が必要
 - ✓ 投与開始後2-3年経過すると二次的な病態進行^{2,3,4}
 - ✓ 医療資源利用率が高く、大きな経済的負担⁵
- 現況: 第 I / II 相FORTIS試験進行中(NCT04174105)
 - ✓ 被験者6名中5名がERTの中止を選択、その後も臨床的に安定な状態を1-3年間維持⁶
- PoC見極め予定時期: 2025年度後半



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: グローバルで約500万人⁷
- 承認された薬剤: 補体阻害剤
 - ✓ 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. Mol Genet Metab. 2025;144:Article 108958, 6. WORLDSymposium 2025, 7. 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