



経営計画2026

対象期間 2026年度～2030年度

アステラス製薬株式会社
代表取締役社長CEO
岡村 直樹

2026年5月26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。

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

患者さんにとって真に重要な

アウトカム

「価値」=

アウトカムを提供するために
ヘルスケアシステムが負担する

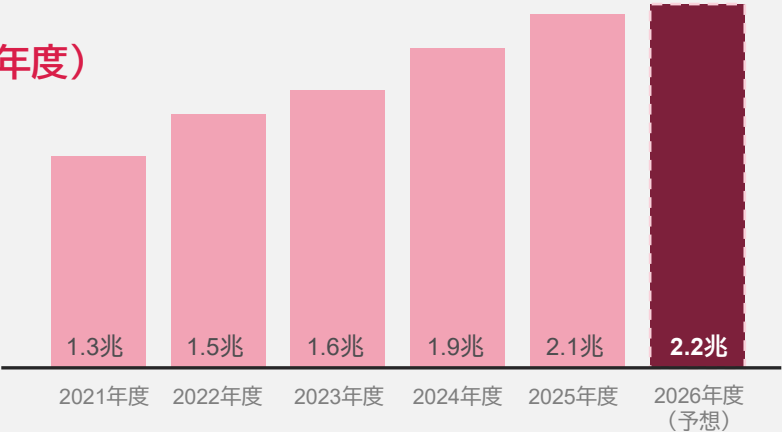
コスト



アステラスについて | 企業概要

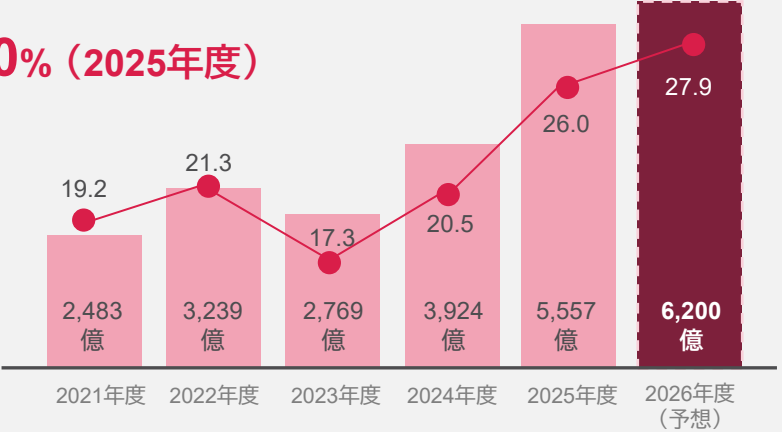
売上収益

2.1 兆円 (2025年度)

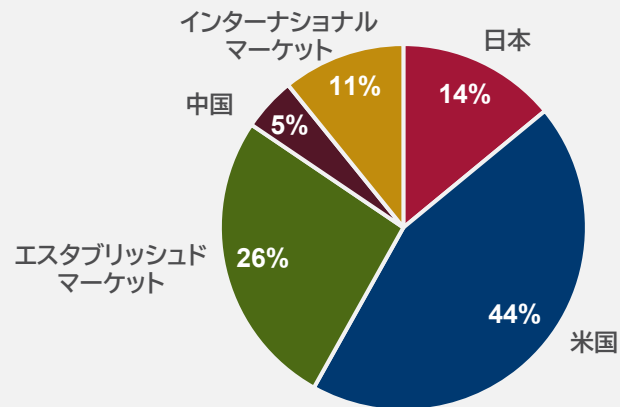


コア営業利益 / コア営業利益率

5,557 億円 / 26.0% (2025年度)



地域別の売上(2025年度)

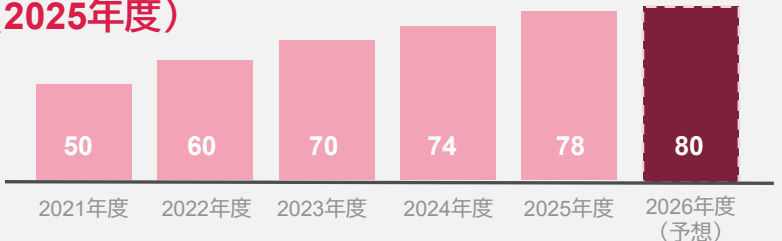


研究開発費 年間平均(2021～2025年度)

2,918 億円
研究開発費比率(対売上収益)
17.2%

株主還元(配当)

78円 (2025年度)



事業展開国

70 以上の国・地域

革新的な新薬の創出と提供*

1億7,400 万人以上
103 の国・地域

2026年度予想は2026年4月公表
2024年度からコアベース業績の定義を変更：フルベースの業績から、無形資産償却費、無形資産譲渡益、持分法による投資損益、その他の収益およびその他の費用を除外
*1994年から2025年3月末までにアステラス製品を処方された累計患者(推定)

経営計画2026

アステラス — 持続的な成長企業

2030年代半ばまでに、パイプライン主導で過去最高水準の売上収益を目指す

経営計画2026は、自己資金創出を基盤とした成長戦略であり、

- 高い収益成長によるキャッシュの創出
- パイプライン主導による成長の加速
- 規律あるキャッシュアロケーション
- 全社的な生産性向上

を実現し、患者さんにより大きな「価値」をより速く創り、届けることを可能にする



経営計画2026の戦略目標と成果指標(2026年度～2030年度)



戦略目標

高い収益成長によるキャッシュの創出

- ・ 収益性の高い重点戦略製品を軸に売上収益を最大化

パイプライン主導による成長の加速

- ・ 2029年度からの成長をパイプラインで牽引

規律あるキャッシュアロケーション

- ・ 十分な成長投資の確保と持続的な株主価値の向上

全社的な生産性向上

- ・ 働き方・企業文化・ガバナンスを基盤とした組織力強化



成果指標



10件以上の第Ⅲ相/ピボタル試験を開始

- ・ 2027年度までに5件以上の第Ⅲ相/ピボタル試験



R&D費控除前コア営業利益: 累計4.3兆円以上

- ・ 重点戦略製品の売上: 2倍に拡大(2025年度比)
- ・ 経常的なコスト最適化目標: 2,000億円
- ・ R&D費控除前コア営業利益率: 50%

配当の持続的な引き上げ

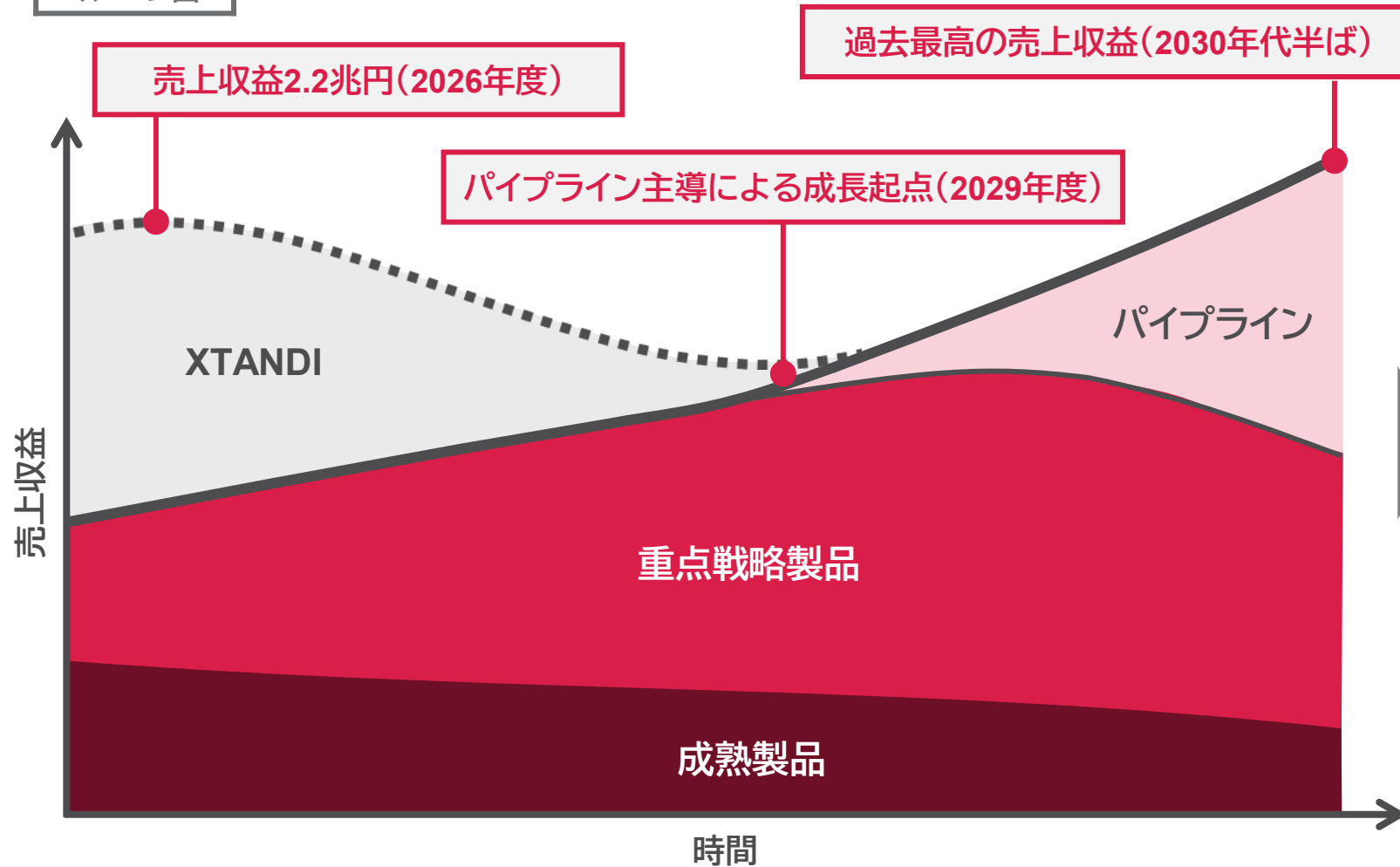
- ・ 毎年2円以上の増配

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

第Ⅲ相/ピボタル試験の数は適応症ベース、重点戦略製品のライフサイクルマネジメントは含めない

売上収益の見通し | パイプライン主導により、さらなる成長へ

イメージ図



アステラスー 持続的な成長企業

- 高い収益成長によるキャッシュの創出
- パイプライン主導による成長の加速
- 規律あるキャッシュアロケーション
- 全社的な生産性向上

重点戦略製品: PADCEV、IZERVAY、VYLOY、VEOZAH、XOSPATA. 2026年度の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ180円、2027年度以降の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ155円

損益構造の見通し | 重点戦略製品の拡大により、収益性を向上

イメージ図

売上収益の製品構成

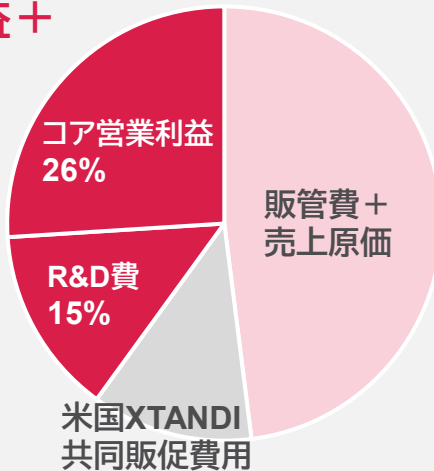
重点戦略製品 約**23%**



損益構造

コア営業利益 +
R&D費
(対売上収益)

約**40%**



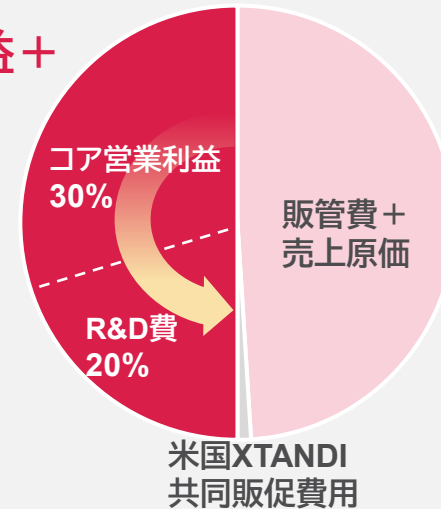
2025年度

重点戦略製品 **50% 以上**



コア営業利益 +
R&D費
(対売上収益)

50%



2030年度

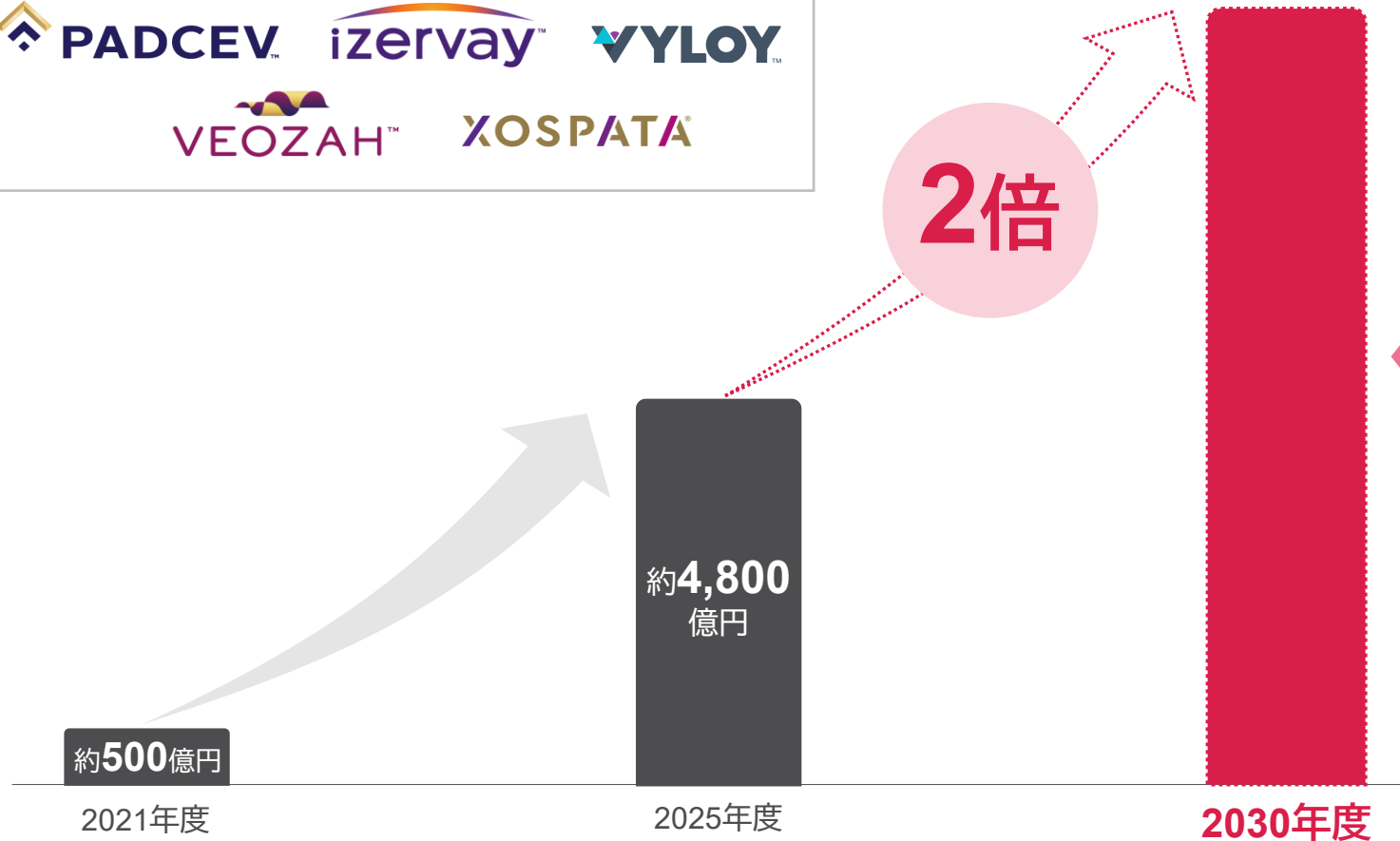
2025年度の為替レート(実績): 1ドル151円、1ユーロ175円、2030年度の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ155円

重点戦略製品の売上 | 2倍に拡大(2025年度比)

重点戦略製品：多様性のある高収益ポートフォリオ



2倍



主な成長機会

PADCEV

- ・ シスプラチン適応および不適応のMIBC
- ・ MIBC膀胱温存療法(第Ⅲ相試験実施中)

IZERVAY

- ・ 早期のGA診断・専門医への紹介・治療促進
- ・ プレフィルドシリンジ(開発中)

VYLOY

- ・ 中国市場における成長機会
- ・ CPI・化学療法併用(第Ⅲ相試験実施中)

VEOZAH

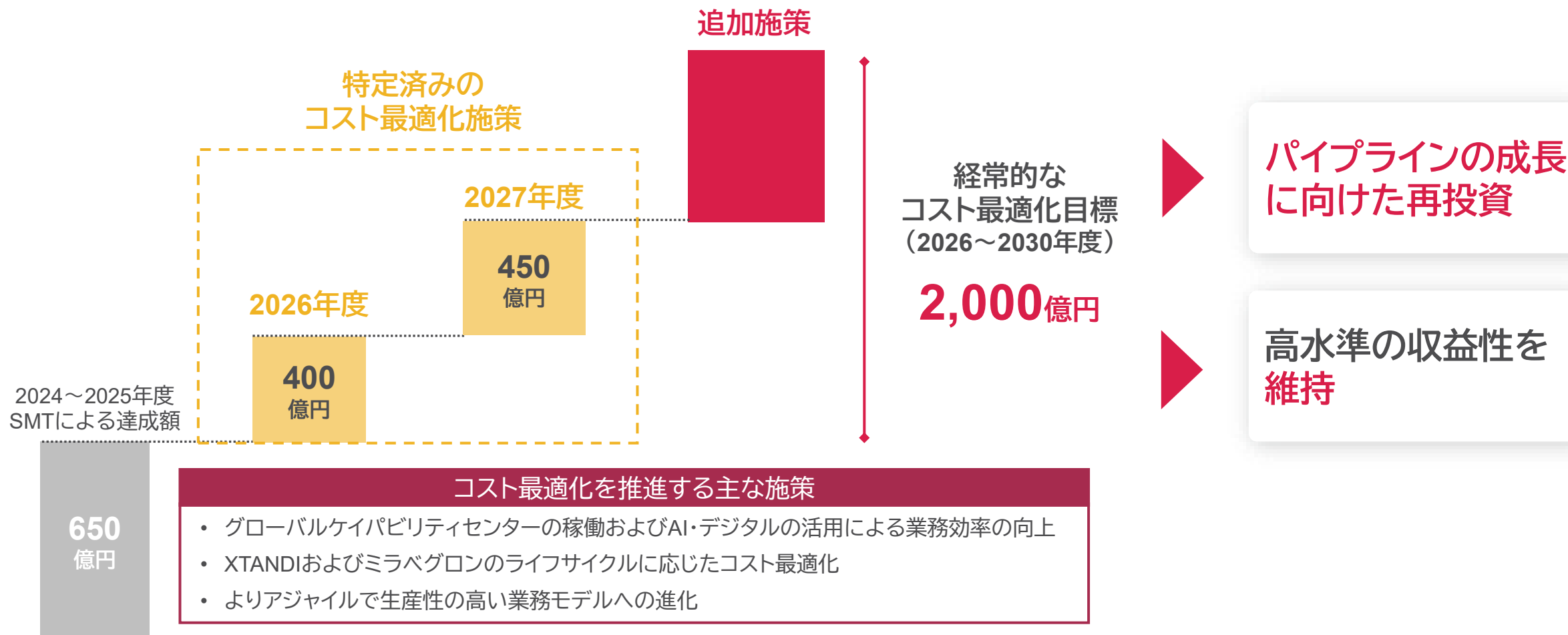
- ・ 日本および中国市場における成長機会
- ・ 乳がん患者におけるVMS(第Ⅲ相試験実施中)

XOSPATAは着実な成長を見込む

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、GA: 地図状萎縮、CPI: 免疫チェックポイント阻害剤、VMS: 血管運動神経症状
2025年度の為替レート(実績): 1ドル151円、1ユーロ175円、2030年度の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ155円

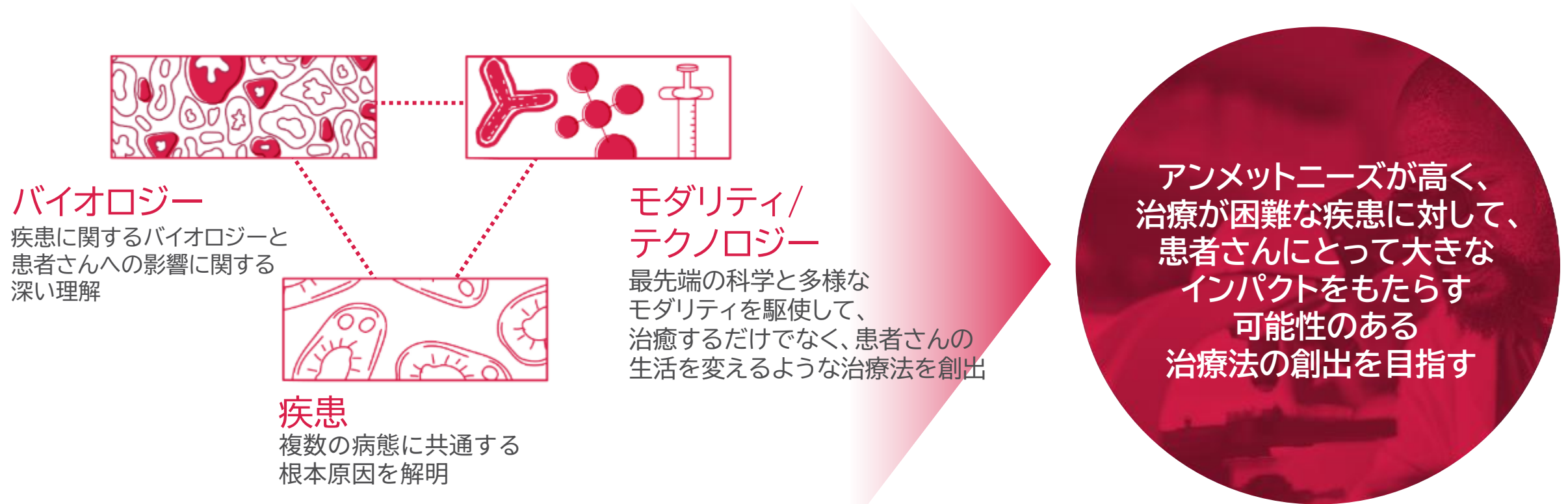
規律あるコスト最適化 | SMTの実績を基盤として継続的に実行

経営計画2026期間(2026～2030年度)



SMT: Sustainable Margin Transformation

Focus Areaアプローチ | 「価値」を創り、届けるためにイノベーションを追求



パイプライン | 2029年度からの成長をパイプラインで牽引

成長加速に向けたR&D投資

- ・ ベース：平均20% (対売上収益)
- ・ 追加投資：最大5%



- 10件以上の第Ⅲ相/ピボタル試験を開始
- ・ 27年度までに5件以上の第Ⅲ相/ピボタル試験

26-30年度



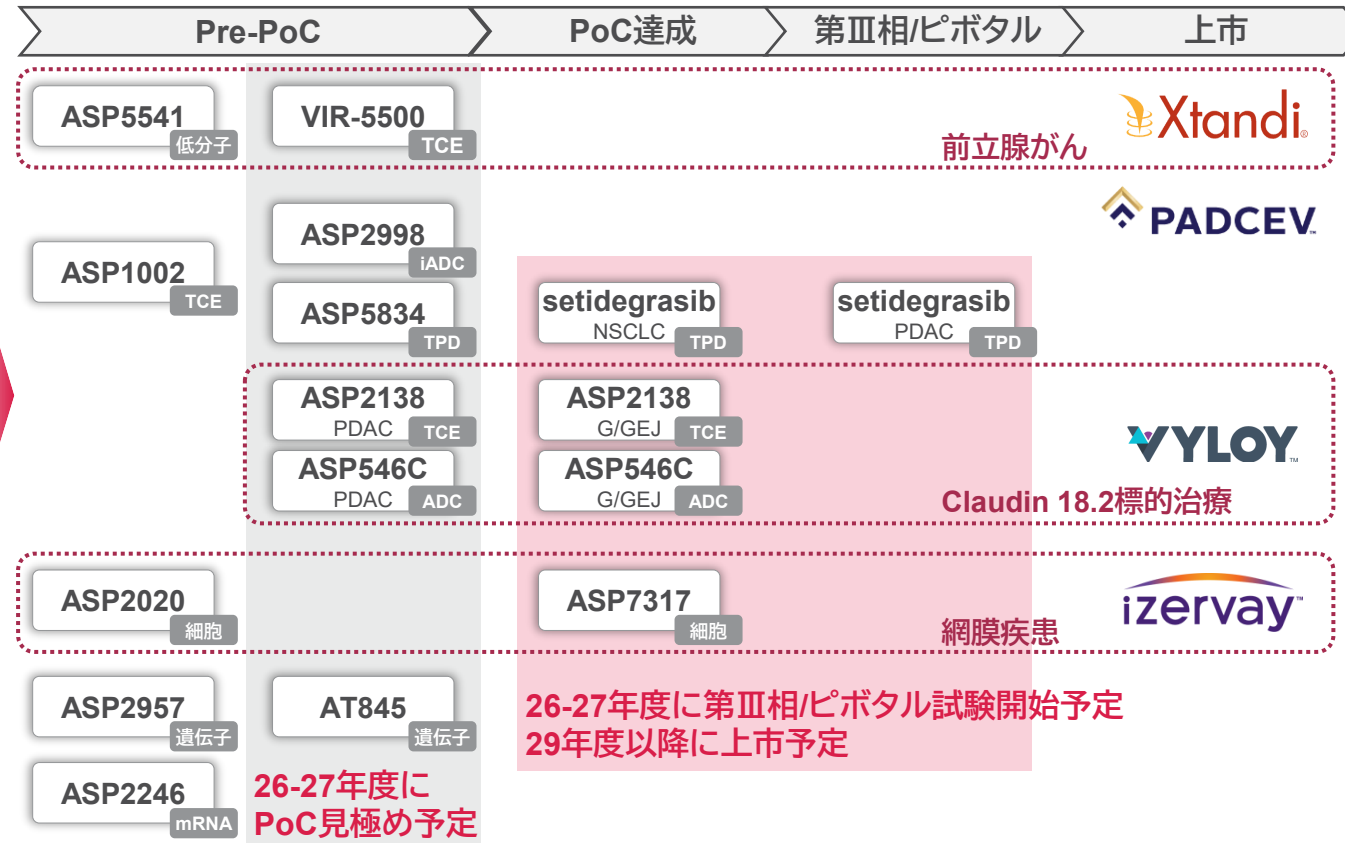
2030年代半ばにおける
パイプラインの売上ポテンシャル：
約1兆円

Primary Focus

- ・ がん免疫
- ・ 標的タンパク質分解誘導
- ・ 遺伝子治療
- ・ 再生と視力の維持・回復



価値付加型BD



がん

泌尿器がん
消化器がん
肺がん
その他

眼科

神経筋疾患
および神経疾患

第Ⅲ相/ピボタル試験の数は適応症ベース、重点戦略製品のライフサイクルマネジメントは含めない

(i)ADC: (免疫刺激性)抗体-薬物複合体、BD: 事業開発、G/GEJ: 胃/食道胃接合部、mRNA: メッセンジャーRNA、NSCLC: 非小細胞肺がん、PDAC: 膵臓がん、PoC: コンセプト検証、TCE: T細胞エンゲージャー、TPD: 標的タンパク質分解誘導剤

R&D生産性 | より大きな「価値」をより速く創り、届ける



社内外の協働を促進

- 実行力を加速する一気通貫の業務モデルと働き方の確立
- パートナーシップを通じた外部イノベーションの活用



データに基づく意思決定を推進

- AIとデータ活用をR&D全体に展開し、意思決定の質と生産性を向上



臨床試験の実行力を強化

- 新技術やデジタルソリューションへの戦略的投資
- 臨床試験プロトコルの簡素化による開発タイムラインの加速
- 主要な臨床オペレーションの内製化による実行管理能力と業務の一貫性向上



「価値」最大化に向けたパイプラインの構築

- 持続的かつ拡張性のあるパイプライン創出を支える社内ケイパビリティの強化
- ガバナンスとフレームワークを強化し、迅速かつ高質なポートフォリオの意思決定を実現

事業開発(BD)のフォーカス | 明確なターゲットと規律を持って価値付加型BDを追求

価値付加型BD (Value-Enhancing BD) 事業開発の基本アプローチとして積極的に追求



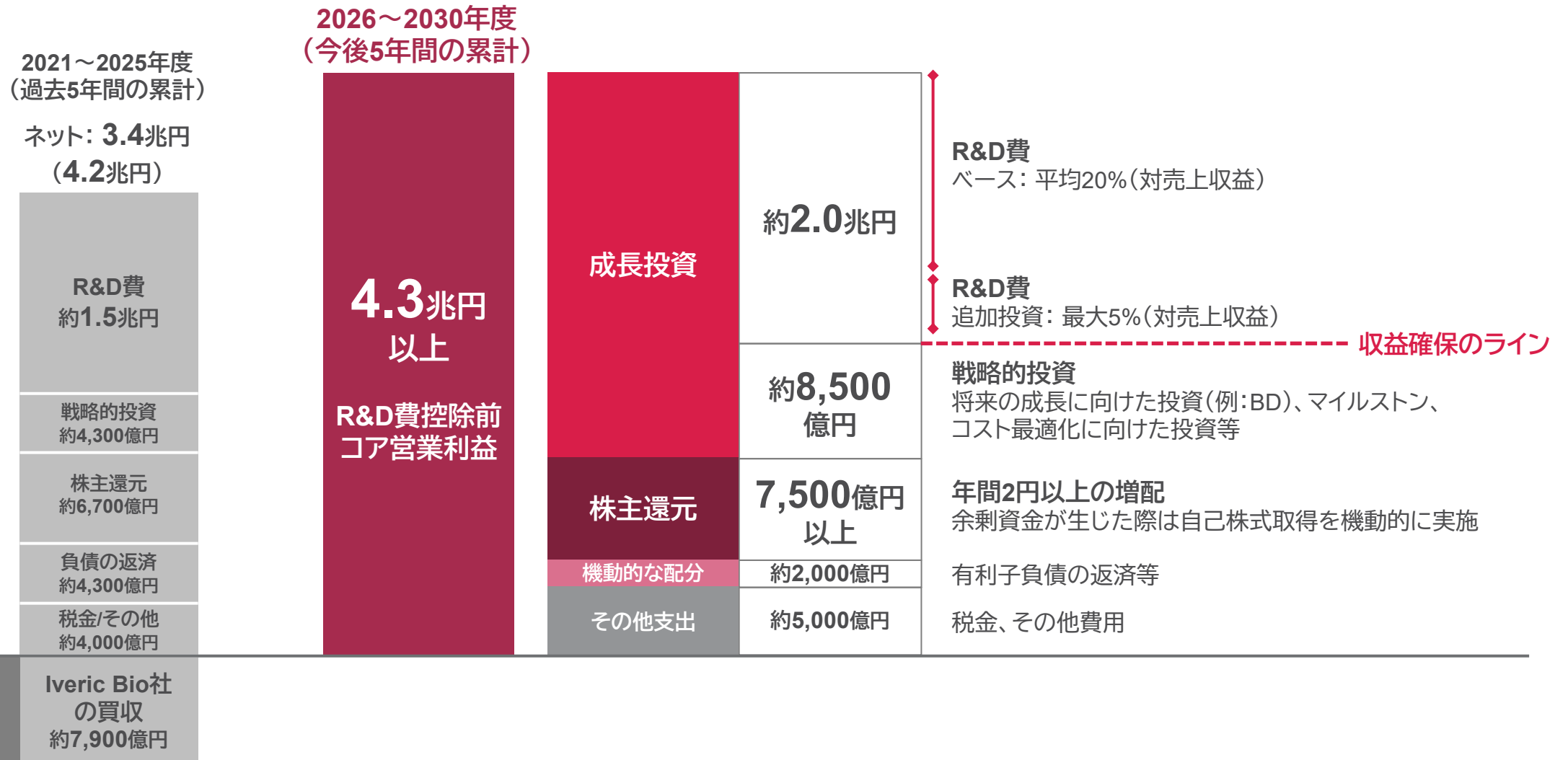
- 既存製品・ケイパビリティとのシナジーが期待できるアセットを獲得し、積極的にパイプラインを強化
- リスクが一定程度低減されたアセット＋強みのある疾患領域・モダリティにフォーカスし、導入後に価値を上乗せ

レスキュー型BD 原則として追求しない



- 大規模なアセット・企業買収を通じて短期的な収益を確保
- 上市間近または既に上市済みのアセットが対象

規律あるキャッシュフローロケーション | 十分な成長投資の確保と持続的な株主価値の向上



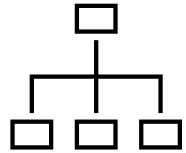
2026年度の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ180円、2027年度以降の為替レート(想定): 1ドル150円、1ユーロ155円

生産性の向上 | 進化した業務モデル

従来の業務モデル

地域軸

機能軸



- 事業運営は地域ごとに編成
- 各機能部門が専門性・ケイパビリティを提供し、成果の創出に貢献

一気通貫の業務モデル

患者軸

Research > P0 > P1 > P2 > P3 > P4 / Market



Asset Maximization Team

研究

開発

CMC

マーケティング

マーケット
アクセス

メディカル
アフェアーズ



機能横断型の**Asset Maximization Team**への
権限委譲により、成果を加速



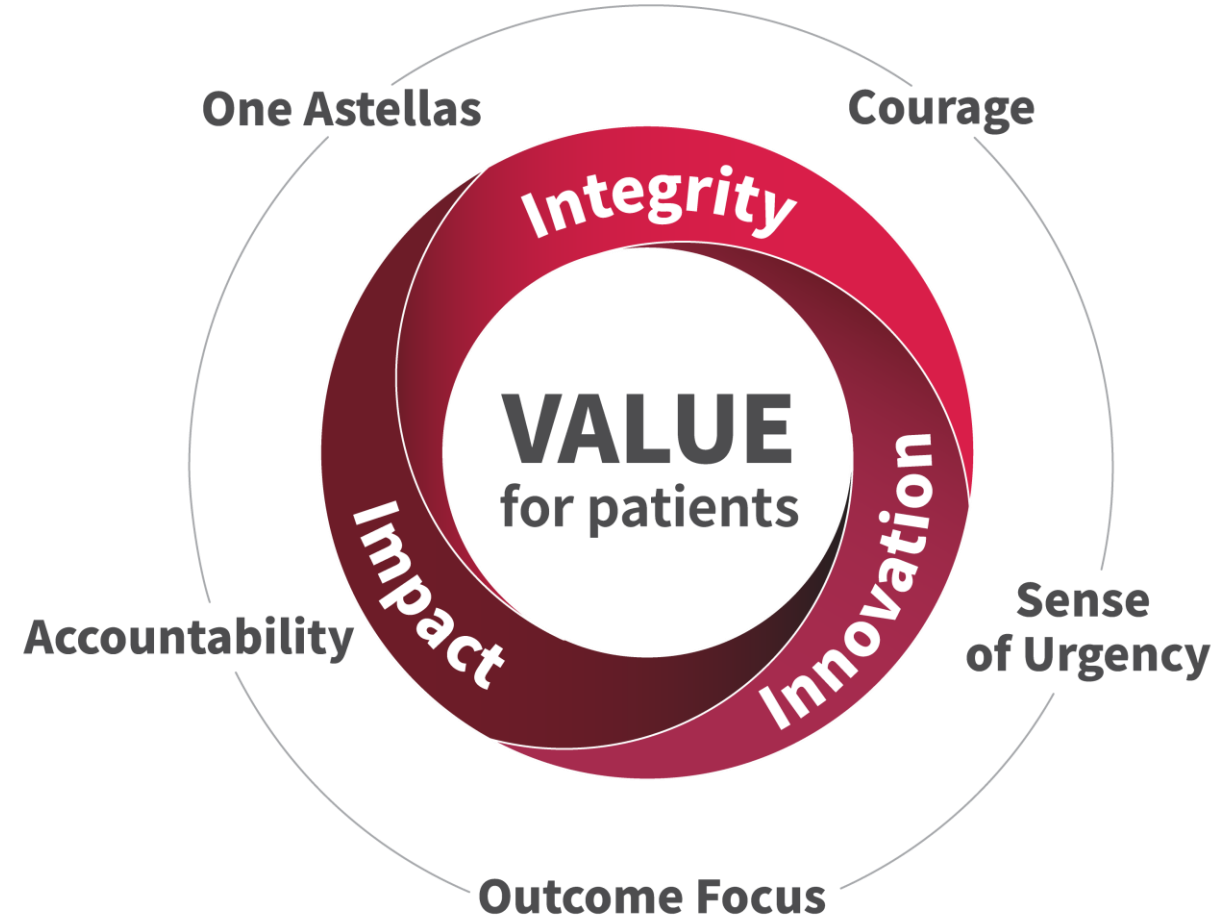
アジャイルマインドセットに基づき、
より大きな「価値」をより速く創り、届ける

全社的な生産性向上

組織文化の礎 | 組織における価値観と行動

組織における価値観と行動は
アステラスの組織文化の礎であり、
経営計画2026の根幹でもある

これらの価値観と行動は、
経営計画2026を通じて、**最先端の
科学を患者さんの「価値」**へ変えて
いく上で重要な羅針盤となる



コーポレート・ガバナンス | 取締役会による経営戦略の監督

取締役会の主な役割



経営理念およびVISIONに沿って
経営戦略をレビュー・承認



長期的な「価値」創造に向けた
業務執行を監督・モニタリング



モニタリングプロセス

監査等委員会



Enterprise Priority
Monitoring group (EPM)



四半期業務報告



株主・投資家からの声



経営計画2026 Key Takeaways | アステラス — 持続的な成長企業

高い収益成長による キャッシュの創出

収益性の高い重点
戦略製品を軸に
売上収益を最大化

パイプライン主導 による成長の加速

2029年度からの成長を
パイプラインで牽引

規律あるキャッシュ アロケーション

十分な成長投資の確保と
持続的な株主価値の向上

全社的な生産性向上

働き方・企業文化・
ガバナンスを基盤とした
組織力強化

2030年代半ばまでに、パイプライン主導で過去最高水準の売上収益を目指す

参考資料



重点戦略製品 | 将来成長を牽引する製品ポートフォリオ



がん

ピーク売上:
4,000-5,000億円

膀胱がんにおいて
化学療法と比べて生存
期間を約2倍に延長¹



がん

ピーク売上:
1,000-2,000億円

胃がんにおいて
化学療法併用により
標準療法単独と比べて
生存期間を約3カ月延長²



がん

ピーク売上:
1,000-2,000億円

再発または難治性の
急性骨髄性白血病に
おいて化学療法と比べて
生存期間を約4カ月延長³



眼科

ピーク売上:
2,000-4,000億円

萎縮型加齢黄斑変性に
伴う地図状萎縮の進行を
偽処置に対して抑制⁴



ウィメンズヘルス

ピーク売上:
1,500-2,500億円

VMS治療における
ファーストインクラスの
非ホルモン療法

PADCEVのピーク売上は、アステラスが計上する売上ではなく、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)、VMS: 血管運動神経症状

1. EV-302試験(治療歴のない局所進行性または転移性尿路上皮がん、ペムブロリズマブ併用); N Engl J Med 2024;390:875-888、2. SPOTLIGHT試験(Claudin 18.2陽性、HER2陰性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の一次治療); Lancet 2023;401:1655-1668、3. ADMIRAL試験; N Engl J Med 2019;381:1728-1740、4. GATHER2試験; Ophthalmology 2026;133:451-465

キャピタルアロケーション方針

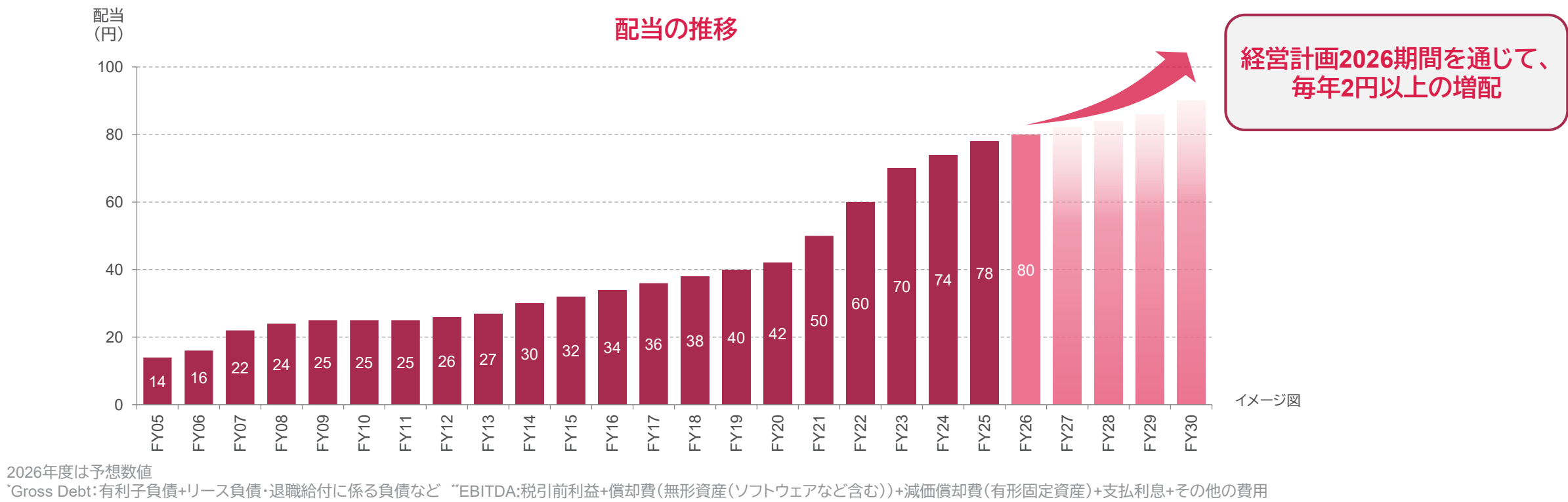
- 1

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、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

潜在的な大規模投資の機会に対応できる財務基盤を確保するため、Gross Debt*/EBITDA**率を1.0～1.5倍にコントロールする



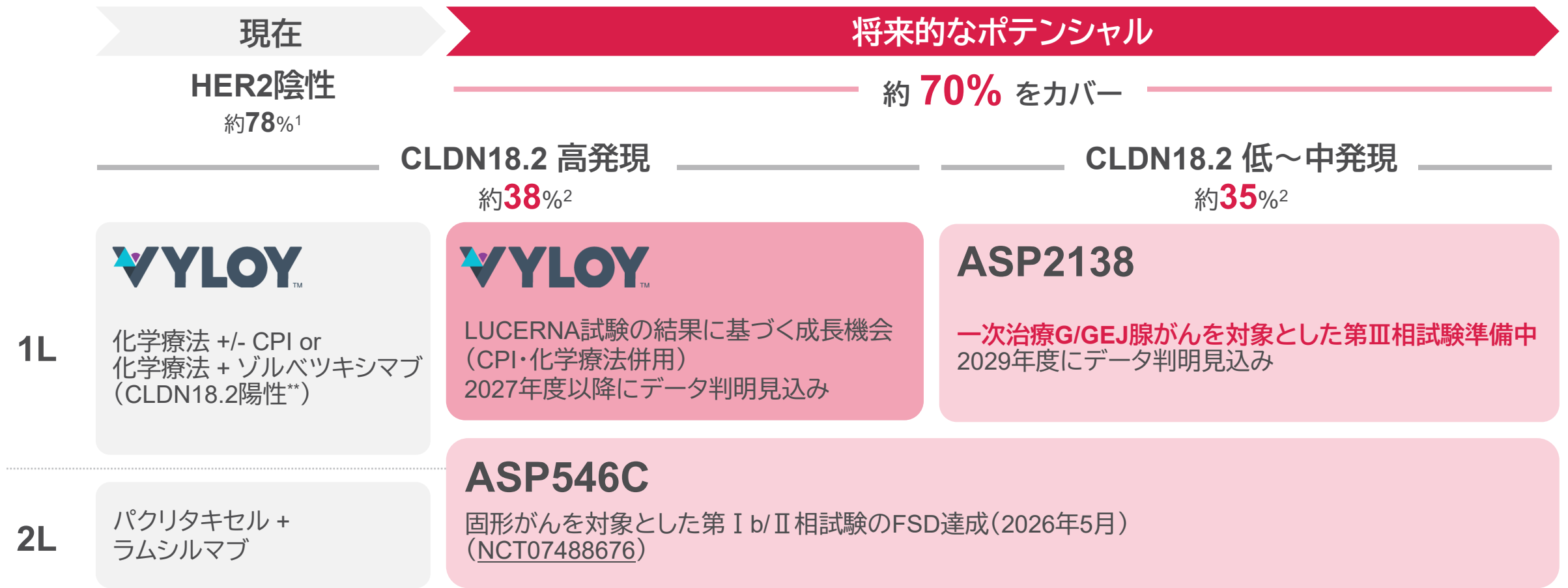
パイプライン | 開発およびコマーシャルのケイパビリティを活用

前立腺がん	開発段階	上部消化管がん・膵がん	開発段階	急性骨髄性白血病	開発段階	固形がん	開発段階
XTANDI(エンザルタミド)	上市	VYLOY(ゾルベツキシマブ) 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	上市	XOSPATA(ギルテリチニブ) 急性骨髄性白血病	上市	setidegrasib(ASP3082) 非小細胞肺がん	1 ● ●
ASP5541	● 2 ●	ゾルベツキシマブ 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん	● ● 3	ギルテリチニブ 小児における急性骨髄性白血病	● ● 3	ギルテリチニブ ALK陽性非小細胞肺がん	1 ● ●
VIR-5500	1 ● ●	ASP2138 胃腺がんおよび食道胃接合部腺がん、 膵腺がん	1 ● ●	ギルテリチニブ 急性骨髄性白血病 (未治療、強力な化学療法不適応)	● 2 ●	ASP1002	1 ● ●
尿路上皮がん	開発段階	ASP546C	1 ● ●			ASP5834	1 ● ●
PADCEV(エンホルツマブ ベドチン) mUC、シスプラチン不適応MIBC	上市	setidegrasib(ASP3082) 膵腺がん	● ● 3			ASP2998	1 ● ●
エンホルツマブ ベドチン シスプラチン適応MIBC	● ● 3						
エンホルツマブ ベドチン MIBC膀胱温存療法	● 2 ●						
眼科	開発段階	神経筋疾患・神経疾患	開発段階	血管運動神経症状(VMS)	開発段階		
IZERVAY(アバシнкаプタド ペゴル) 地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性	上市	AT845 ポンベ病	● 2 ●	VEOZAH(フェゾリネタント) 閉経に伴うVMS	上市		
ASP7317 地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性	1 ● ●	ASP2957 X連鎖性ミオチューブラーミオパチー	1 ● ●	フェゾリネタント 閉経に伴うVMS:中国・日本、 乳がん患者におけるVMS	● ● 3		
		ASP2246 虚血性脳卒中に伴う運動機能障害	治験計画 承認(日本)				

2026年5月時点、本リストはすべてのパイプラインを網羅するものではない
ALK:未分化リンパ腫キナーゼ、MIBC:筋層浸潤性膀胱がん、mUC:転移性尿路上皮がん

胃および食道胃接合部腺がん | VYLOYを基盤にCLDN18.2標的治療フランチイズを拡大

- 推定患者数* (G/GEJ腺がん全体): 一次治療において約**119,000**人、二次治療において約**50,000**人



*米国、ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス、日本(アステラスによる算定)、**CLDN18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CLDN18.2陽性と判定
1. Gastric Cancer 2015;18:476-484、2. Gastric Cancer 2024;27:1058-1068、1L:一次治療、2L:二次治療、CLDN: Claudin、CPI:免疫チェックポイント阻害剤、FSD:最初の被験者への投与、G/GEJ:胃/食道胃接合部

膵臓がん | KRAS G12D変異およびCLDN18.2を標的とした開発の加速

- 推定患者数* (膵臓がん全体): 一次治療において約**176,000**人、二次治療において約**40,000**人
- 転移性膵臓がんにおける標準治療: 化学療法

KRAS G12D変異陽性

膵臓がんの約**40**%¹

setidegrasib

一次治療を対象とした第Ⅲ相試験進行中 (NCT07409272)
2029年度にデータ判明見込み(中間解析)



主要評価項目:
OS

CLDN18.2陽性**

膵臓がんの約**60**%²

ASP2138

第 I 相試験進行中
(NCT05365581、NCT07024615)

ASP546C

固形がんを対象とした第 I b/ II 相試験のFSD達成(2026年5月)
(NCT07488676)

*米国、ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス、日本(アステラスによる算定)、**CLDN18.2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. Int J Cancer. 2013;134:731、CLDN: Claudin、KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、mFOLFIRINOX: ロイコボリン+フルオロウラシル+イリノテカン+オキサリプラチン、FSD: 最初の被験者への投与、NALIRIFOX: ナノリボソーム型イリノテカン+オキサリプラチン+ロイコボリン+フルオロウラシル、OS: 全生存期間、QW: 週1回投与

非小細胞肺がん | ファーストインクラスを目指すタンパク質分解誘導剤の開発

- 推定患者数* (非小細胞肺がん全体): 一次治療において約**234,000**人、二次治療以降において約**151,000**人

現在

将来的なポテンシャル

KRAS G12D変異陽性

非小細胞肺がんの約**5%**¹

1L

化学療法 +/- CPI

setidegrasib

第 I 相試験実施中 (NCT05382559)

2L+

化学療法、CPI、
分子標的薬

setidegrasib

第 III 相試験準備中 (NCT07566052)
2028年度にデータ判明見込み

N=356
R (1:1)

setidegrasib QW

Docetaxel

主要評価項目:
PFS、OS

*米国、ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス、日本(アステラスによる算定)、1. npj Precis Oncol. 2022;6:91.

1L:一次治療、2L+:二次治療以降、CPI:免疫チェックポイント阻害剤、KRAS:Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue、OS:全生存期間、PFS:無増悪生存期間、QW:週1回投与

前立腺がん | XTANDIで培ったケイパビリティを活用

- 推定患者数* (前立腺がん全体): mCRPCにおいて約**147,000**人、mCSPCにおいて約**121,000**人

現在



進行性前立腺がんの様々な適応において最も多く処方されたアンドロゲン受容体経路阻害薬

全世界で130万人以上の患者に投与

将来的なポテンシャル

VIR-5500

第 I 相試験進行中
([NCT05997615](#))

- mCRPCを対象とした単剤療法
- mCSPCを対象としたARSIとの併用療法

ASP5541

第 II 相試験進行中
([NCT07005154](#))

*米国、ドイツ、フランス、イタリア、スペイン、イギリス、日本(アステラスによる算定)

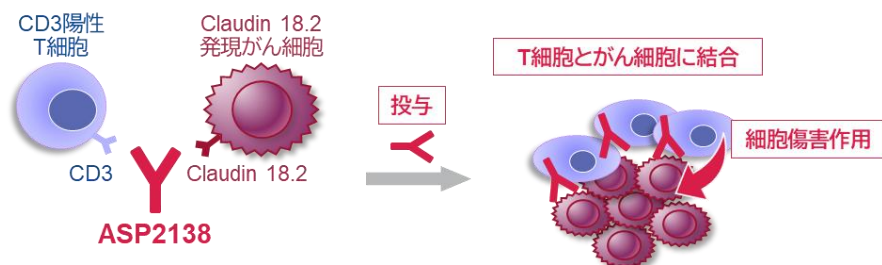
ARSI: アンドロゲン受容体シグナル阻害薬、mCRPC: 転移性去勢抵抗性前立腺がん、mCSPC: 転移性去勢感受性前立腺がん

ASP2138 | 概要

概要

CLDN18.2および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%¹、膵臓がんの約60%²

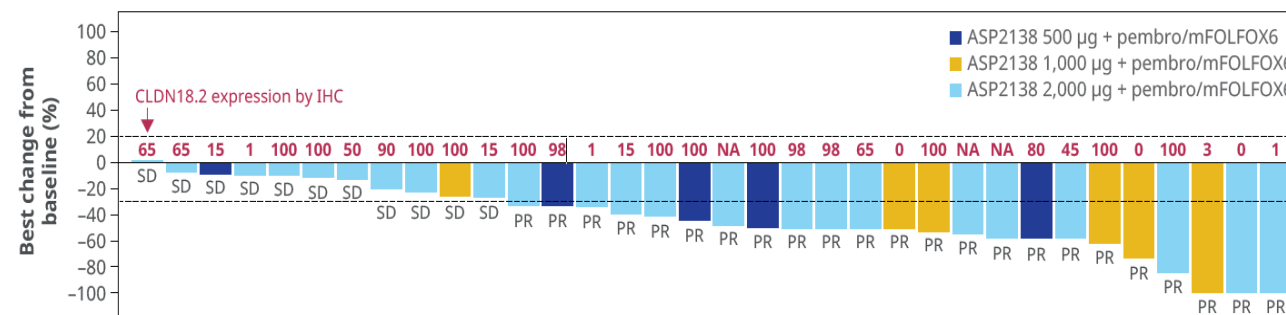


- 第I相試験で標準治療との併用による抗腫瘍活性を確認
- 皮下投与による利便性
- VYLOYの成功により培った知見を活かし、CLDN18.2標的治療におけるリーディングポジションを強化

最新データ³

- 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、CPSレベルに関わらず、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低～中発現および高発現の両患者層でレスポンスを確認

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



*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. Gastric Cancer. 2024;27:1058, 2. Int J Cancer. 2013;134:731, 3. European Society for Medical Oncology (ESMO) 2025
1L: 一次治療、2L: 二次治療、CLDN: Claudin、DCR: 病勢コントロール率、mFOLFOX6: 5-FU + ロイコボリン + オキサリプラチン、G/GEJ: 胃/食道胃接合部、ORR: 客観的奏効率、Pembro: ペムブロリズマブ

ASP546C | 概要

概要

CLDN18.2を標的とする抗体-薬物複合体(ADC)

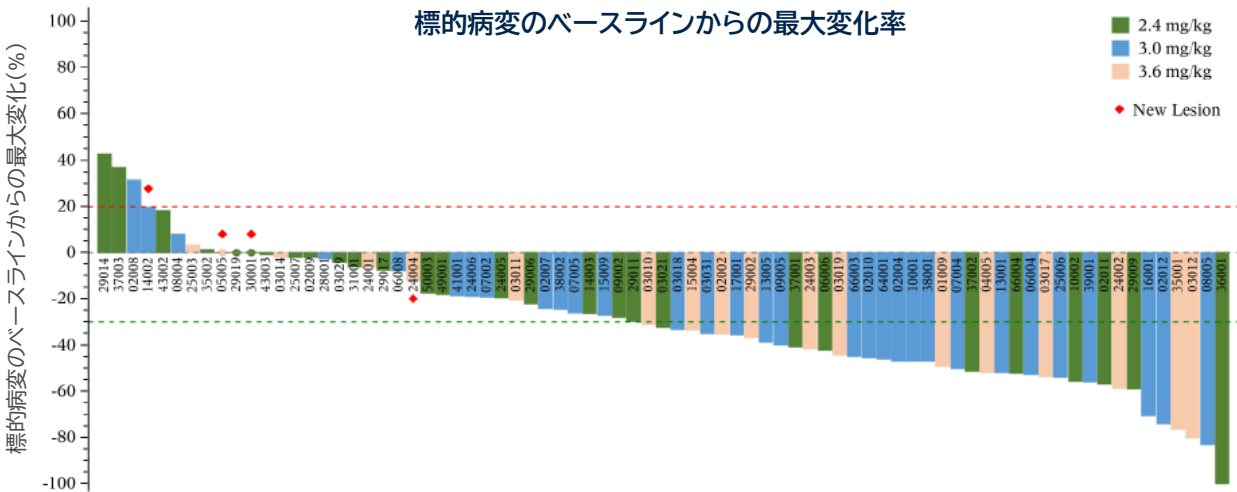
- ペイロード：独自のトポイソメラーゼI阻害剤
薬物抗体比(DAR)：8
- リンカー：MediLink社のTMALIN(Tumor Microenvironment Activable LINker)技術を活用
- 中国で実施した第I/II相試験において、単剤で抗腫瘍活性および管理可能な忍容性を確認
- “Chemo-free”レジメン提供の可能性
- 他のCLDN18.2陽性がん種への拡大の可能性

最新データ¹

<CLDN18.2陽性胃/食道胃接合部腺がんにおける予備的有効性>

(CLDN18.2陽性:CLDN18.2発現 ≥5%、IHC ≥2+)

	2.4 mg/kg (n=29)	3.0 mg/kg (n=31)	3.6 mg/kg (n=18)
BOR	31.0%	61.3%	66.7%
DCR	82.8%	87.1%	88.9%



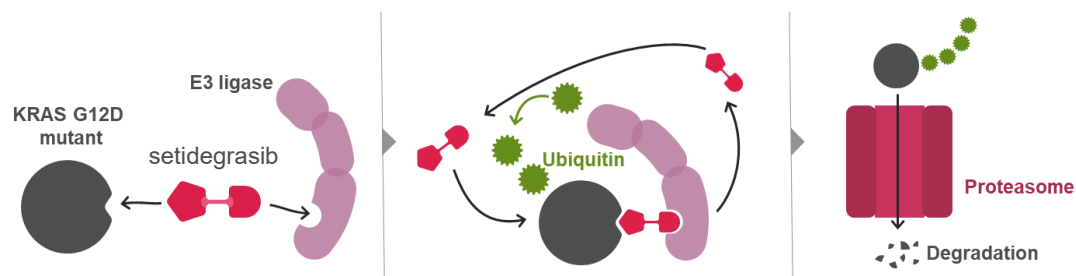
- 主な治療関連有害事象(20%以上の患者で発現):血液障害、胃腸障害

1. 米国臨床腫瘍学会(ASCO) 2025
BOR:最良総合効果、CLDN:Claudin、Chemo:化学療法、DCR:病勢コントロール率、IHC:免疫組織化学染色

setidegrasib | 概要

概要

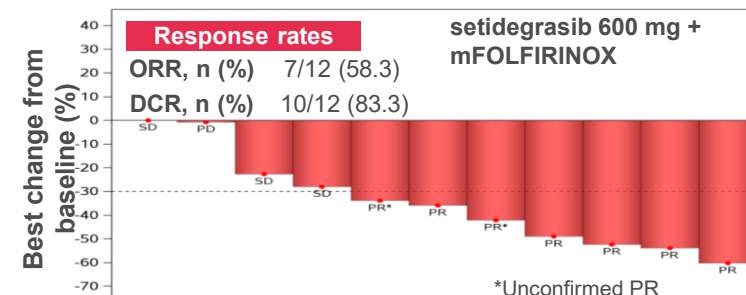
setidegrasibは、生体内のタンパク質分解プロセスであるユビキチン・プロテアソーム系を利用する



- KRAS G12D変異陽性固形がんを対象とした標的タンパク質分解誘導剤で、ファーストインクラスが期待される
- 二次治療以降のKRAS G12D変異陽性進行性非小細胞肺癌または膵臓がん患者において、有害事象によるsetidegrasibの中断はなかった¹

最新データ | 膵臓がん

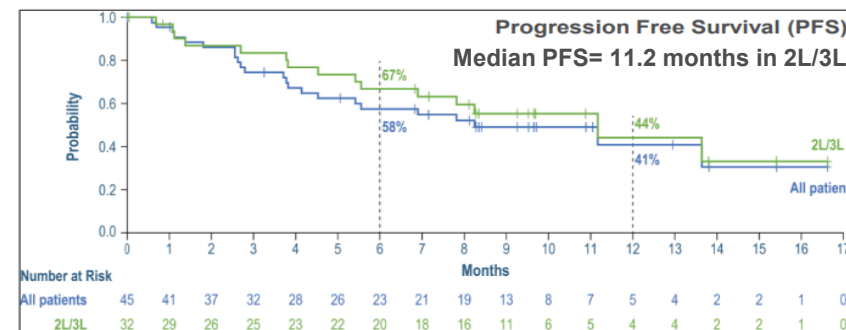
- ASCO GI 2026において一次治療のデータを発表



最新データ | 非小細胞肺癌

- ELCC 2026において単剤・二次治療以降のデータを発表
NEJMにも掲載¹

✓ **ORR = 37.5%(2L/3L)**



1. N Engl J Med 2026 Mar; doi: 10.1056/NEJMoa2600752, 2L: 二次治療, 3L: 三次治療, ASCO GI: 米国臨床腫瘍学会 消化器がんシンポジウム, DCR: 病勢コントロール率, ELCC: 欧州肺癌学会, KRAS: Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue, mFOLFIRINOX: ロイコボリン+フルオロウラシル+イリノテカン+ オキサリプラチン, NEJM: The New England Journal of Medicine, ORR: 客観的奏効率, PFS: 無増悪生存期間, PR: 部分奏効

VIR-5500 | 概要

概要

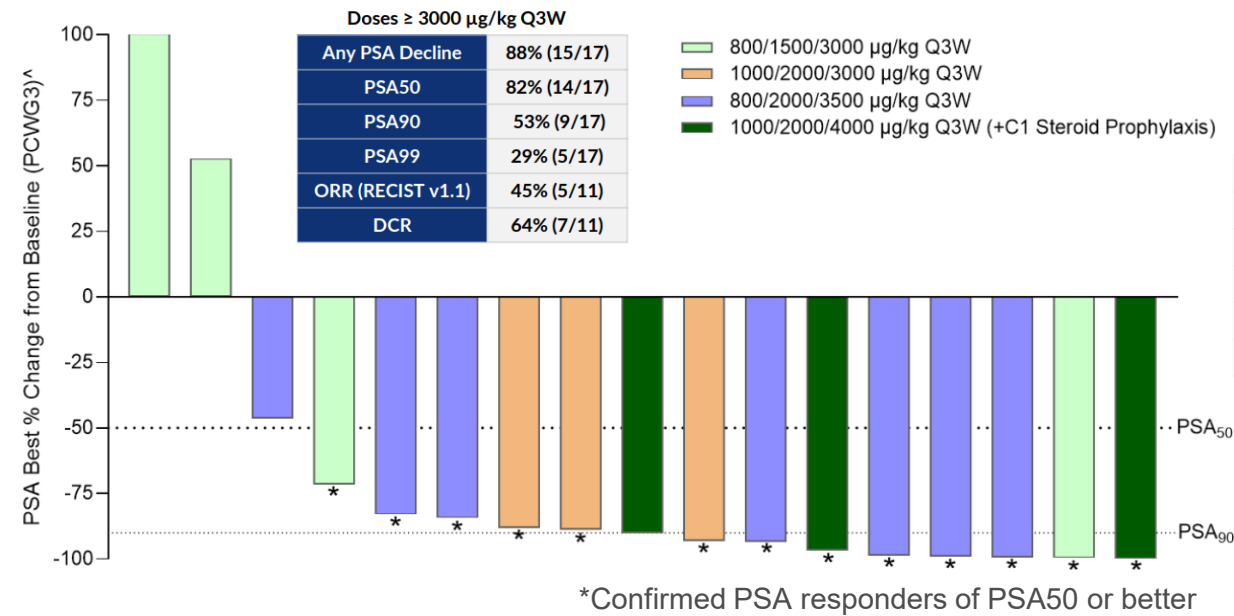
PSMAを標的とした二重マスキングCD3 T細胞エンゲージャー

- 対象疾患：前立腺がん
- 第 I 試験進行中(NCT05997615)

最新データ

- ASCO GU 2026にて第 I 相試験の単剤・用量漸増試験の初期データを発表
 - 前治療歴の多いmCRPC患者において、**RECISTおよびPSAで抗腫瘍効果を確認**
 - 客観的奏効率(ORR)45%**、PSA反応を示した1例で約300日間治療継続
 - 用量制限毒性(DLT)は認められず**、サイトカイン放出症候群(CRS)は主にGrade 1(予防投与なし)

PSA-evaluable participant dosed at ≥ 3000 ug/kg Q3W



PSA50: ベースラインから50-100%のPSA低下、PSA90: ベースラインから90-100%のPSA低下、PSA99: ベースラインからPSA99-100%のPSA低下
ASCO GU: 米国臨床腫瘍学会 泌尿生殖器がんシンポジウム、mCRPC: 転移性去勢抵抗性前立腺がん、DCR: 病勢コントロール率、PSA: 前立腺特異抗原、PSMA: 前立腺特異的膜抗原、
RECIST: Response Evaluation Criteria in Solid Tumors

ASP5541 | 概要

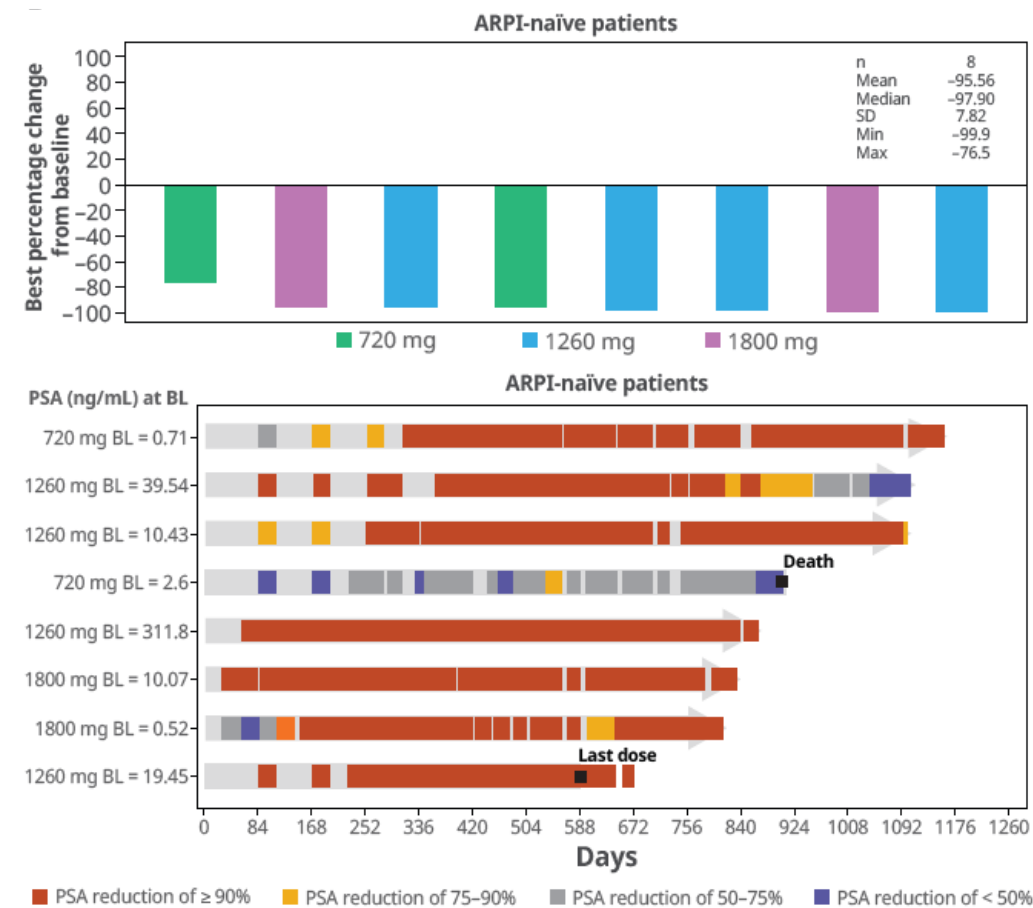
概要

アビラテロンデカン酸エステル¹の長時間作用型筋肉内投与製剤

- 対象疾患：前立腺がん
- 第Ⅱ相試験が進行中(NCT07005154)

最新データ

- ESMO 2025にて第Ⅰ相試験の初期データを発表
 - ARPI治療歴がないmCRPC患者において、PSAの深いかつ持続的な低下を伴う有効性を示した
 - PSA50%奏功率100% (8/8例)、**PSA90%奏功率87.5% (7/8例)**
 - ミネラルコルチコイド関連毒性は低頻度であり、臨床的に重要な肝毒性は認められず、良好な忍容性を示した



PSA50: ベースラインから50-100%のPSA低下、PSA90: ベースラインから90-100%のPSA低下
ARPI: アンドロゲン受容体経路阻害薬、BL: ベースライン、mCRPC: 転移性去勢抵抗性前立腺がん、ESMO: 欧州臨床腫瘍学会、PSA: 前立腺特異抗原、SD: 標準偏差



地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性 | 細胞治療による視覚機能の改善を目指す

- 推定患者数(地図状萎縮全体): 世界で約**500万人**¹
 - 重度視力障害: 約**30%**
 - 中等度視力障害: 約**40%**
 - 軽度視力障害: 約**30%**

現在

izervay™

補体阻害剤
疾患進行の抑制

将来的なポテンシャル

ASP7317

重度視力障害を伴う患者において**PoCを達成**
今後の開発計画を検討中

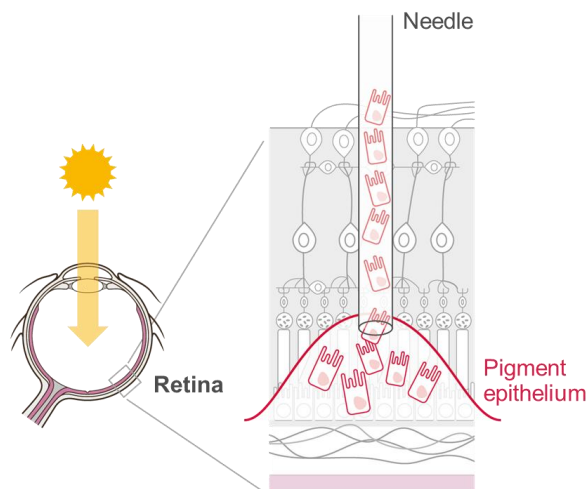
*疾患ステージの割合はアステラスによる算定、1. Retina. 2017;37:819-835
PoC: コンセプト検証

ASP7317 | 概要

概要

視覚機能の維持・回復を目指した網膜色素上皮細胞の移植

- 対象疾患：地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性
- 承認された薬剤：補体阻害剤
 - ✓ 進行抑制が目的



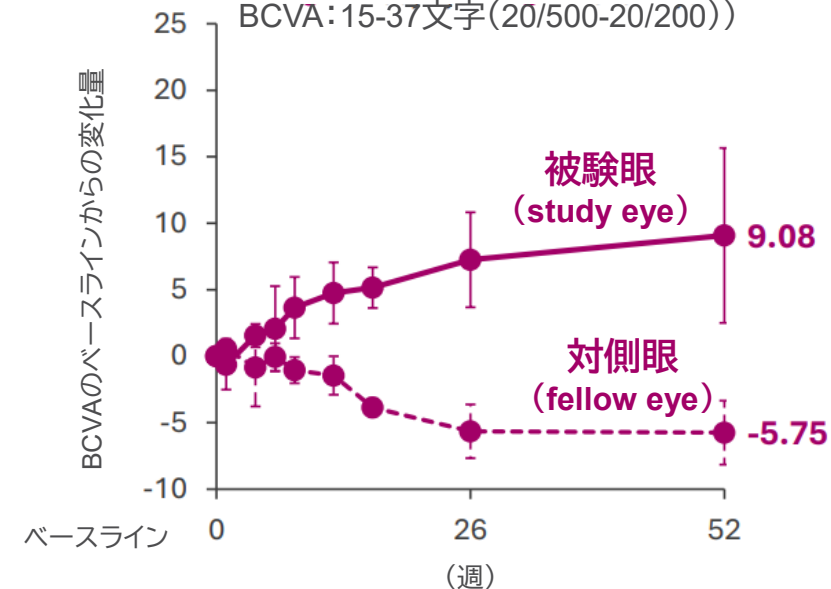
*26週時点でn=5、52週時点でn=3
PoC: コンセプト検証

最新データ

- 第 I b 相試験の初期データを Association for Research in Vision and Ophthalmology (ARVO) 2026 で発表
 - ✓ 眼内炎症の発生、拒絶反応や生着不全および腫瘍形成の兆候は認められず
 - ✓ 重度視覚障害の患者に ASP7317 を投与後、最高矯正視力 (BCVA) 改善の傾向が示唆

<最高矯正視力 (BCVA) 平均値の経時変化>

(コホート2: 重度視覚障害患者、中用量、n=3-5*;
BCVA: 15-37文字 (20/500-20/200))



AT845 | 概要

概要

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

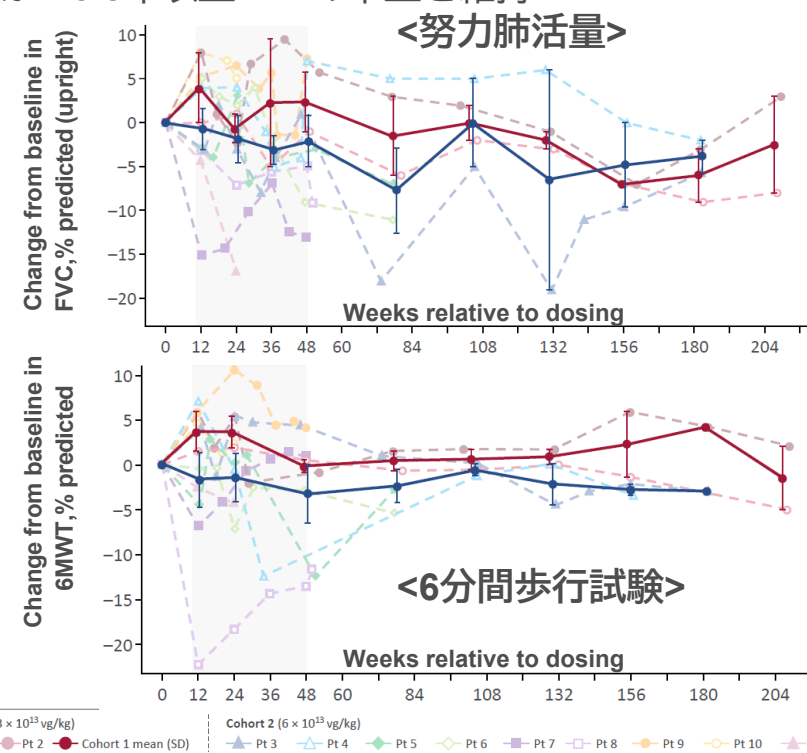


現況

- 第 I / II 相 FORTIS 試験 進行中 (NCT04174105)
- FDA から RMAT 指定を 2025 年 2 月に取得
- PoC 見極めに向けて追加解析実施中

最新データ

- 第 I / II 相 FORTIS 試験のフォローアップデータを WORLD Symposium 2026 で発表
 - ✓ 1年以上のフォローアップ期間がある被験者6名中、5名が1-3.5年以上ERTの中止を維持



FORTIS試験 データカットオフ: 2025年7月22日、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. AAV: アデノ随伴ウイルス、FDA: 米国食品医薬品局、GAA: 酸性α-グルコシダーゼ、PoC: コンセプト検証、RMAT: Regenerative Medicine Advanced Therapy