



シンバイオ製薬 | 4582

COVERAGE INITIATED ON: 2014.10.31

LAST UPDATE: 2019.09.17

当レポートは、掲載企業のご依頼により株式会社シェアードリサーチが作成したものです。投資家用の各企業の『取扱説明書』を提供することを目的としています。正確で客観性・中立性を重視した分析を行うべく、弊社ではあらゆる努力を尽くしています。中立的でない見解の場合は、その見解の出所を常に明示します。例えば、経営側により示された見解は常に企業の見解として、弊社による見解は弊社見解として提示されます。弊社の目的は情報を提供することであり、何かについて説得したり影響を与えたりする意図は持ち合わせておりません。ご意見等がございましたら、sr_inquiries@sharedresearch.jp までメールをお寄せください。ブルームバーグ端末経由でも受け付けております。



目次

SRLレポートの読み方：本レポートは、直近更新内容・業績動向セクションから始まります。ビジネスモデルに馴染みのない方は、事業内容セクションからご覧ください。

要約	3
主要経営指標の推移	5
直近更新内容	6
概略	6
業績動向	7
事業内容	18
事業概要	18
事業戦略	20
パイプライン	23
収益構造	34
SW (Strengths, Weaknesses) 分析	36
マーケット概略	37
過去の業績	40
損益計算書	52
貸借対照表	53
キャッシュフロー計算書	54
その他の情報	55
損害賠償請求	55
沿革	55
ニュース&トピックス	56
大株主	61
トップマネジメント	62
従業員	62
ところで	63
企業概要	67

要約

欧米バイオベンチャー企業等から、新薬候補品の開発権、販売権を取得し、製品化

- 同社は、主に欧米バイオベンチャー企業等から、医療ニーズが高く、POC（Proof of Concept）が確立されたがん・血液・ペインマネジメントを対象とする新薬候補品の開発権、販売権を取得し、短期間での製造販売承認取得により、国内及びアジア地域での製品販売による収益獲得を図る。
- 基礎研究を行わず、既にヒトで基礎研究が行われ、POCが確立された新薬候補品を開発対象とする。新薬候補品は独自の情報収集による社内の専門家による探索・評価、絞り込みに加え、年に3回開催される科学的諮問委員会（SAB）による評価を経ることで、承認取得確率の高い開発候補品を選別する。また、ラボレス・ファブレス戦略による費用効率化、「空白の治療領域」への特化による高収益化、グローバル展開戦略による収益獲得機会拡大を図っている。
- 通常、医薬品の開発は基礎研究から製造販売承認取得まで10～17年間の期間を要するが、同社は、第1号開発品のトレアキシ[®]に関して、導入から5年で国内製造販売承認を取得し、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した。
- 2019年2月現在、同社は抗がん剤トレアキシ[®]について、再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫、未治療（初回治療）低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病の適応症について、承認を取得、販売している。トレアキシ[®]は、日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版において、再発難治性低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫、マンツル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病の標準的治療の選択肢として記載されている。また、未治療低悪性度非ホジキンリンパ腫においても治療選択肢として記載されている。
- 開発中のパイプラインは、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を適応症とする抗がん剤トレアキシ[®]、トレアキシ[®]のRTD製剤およびRI製剤、骨髄異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブの注射剤、同経口剤である。

業績動向

- 2018年12月期通期は、売上高3,836百万円（前期比11.4%増）となった。製品売上が3,810百万円（同10.6%増）、権利収入が26百万円（前期の権利収入は0百万円）となった。損益面では、営業損失2,656百万円（前期は営業損失3,947百万円）、経常損失2,749百万円（前期は経常損失3,977百万円）、当期純損失2,753百万円（前期は当期純損失3,978百万円）となった。
- 同社は2019年8月にトレアキシ[®]の出荷の遅延により2019年12月期業績修正を発表した。売上高3,092百万円（前期比19.4%減）、営業損失3,780百万円（前期は営業損失2,656百万円）、経常損失3,856百万円（前期は経常損失2,749百万円）、当期純損失3,859百万円（前期は当期純損失3,056百万円）を見込む。
- 中期経営計画においては、売上高成長と利益率向上の実現を図り、2022年12月期の売上高11,282～11,809百万円、当期純利益1,736～2,060百万円と黒字化を計画している。なお、2019年8月に発表した2019年12月期通期業績修正に伴い、中期経営計画は精査中であり、計画数値を確認次第、修正を行う予定である。売上高はトレアキシ[®]の承認済み適応症の市場浸透率上昇、適応症の拡大（再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加）などによる増加を計画している。利益面では、売上高の増収効果に加え、自社販売への移行で、トレアキシ[®]の販売に伴う利益を取り込み、売上総利益率が上昇し、大幅な増益となる計画である。自社販売体制の構築・運営にかかわる費用の増加は見込んでいるが、自販体制による売上総利益の増加は当該費用の増加を大きく上回るとSR社は考えている。なお、自販体制は血液疾患領域に特化し、トレアキシ[®]に加え、リゴセルチブの販売も行う予定であるという。

同社の強みと弱み

SR社では、同社の強みを、承認取得確率の高い候補品を探索・評価・導入する力、短時間で製品化（上市）する開発力、「空白の治療領域」におけるシェアの獲得力の3点だと考えている。一方、弱みは、営業・販売組織、資金調達力、特定人物への依存度の3点だと考えている。（「SW（Strengths, Weaknesses）分析」の項参照）

主要経営指標の推移

(百万円)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独	19年12月期 会予
売上高	1,191	1,450	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836	3,092
前年比	-26.9%	21.7%	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-19.4%
売上総利益	1,191	1,212	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173	
前年比	-26.9%	1.7%	-45.7%	-9.9%	-46.4%	65.6%	10.7%	55.1%	14.1%	13.7%	
売上総利益率	100.0%	83.6%	35.0%	30.3%	20.8%	26.9%	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%	
営業利益	-208	-613	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-3,780
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益	-214	-638	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-3,856
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
当期純利益	-218	-642	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-3,859
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
―株当たりデータ (円、株式分割調整後)											
期末発行済株式数 (千株)	101	112	19,131	19,131	30,634	30,634	32,391	46,531	54,049	82,399	
EPS (円)	-32.5	-59.3	-143.6	-90.6	-69.3	-36.3	-81.3	-58.8	-79.8	-41.4	-167.7
EPS (潜在株式調整後)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
DPS (円)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
BPS (円)	402.8	365.4	345.3	254.7	239.5	208.8	127.6	108.6	50.0	53.1	
貸借対照表 (百万円)											
現金・預金・有価証券	4,121	4,016	6,511	4,840	7,264	6,591	4,261	5,719	2,947	4,821	
流動資産合計	4,218	4,213	7,178	5,421	7,634	7,290	4,827	6,685	4,037	6,038	
有形固定資産	13	22	17	14	9	49	53	75	47	57	
投資その他の資産計	27	27	48	57	37	49	53	77	100	73	
無形固定資産	2	1	13	11	8	66	52	42	69	71	
資産合計	4,261	4,263	7,256	5,502	7,687	7,454	4,984	6,878	4,252	6,239	
買掛金	-	1	309	330	-	306	320	322	604	726	
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	
流動負債合計	205	178	646	599	251	488	551	942	1,011	1,336	
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	
固定負債合計	2	2	5	4	3	2	2	451	1	1	
負債合計	207	180	651	602	254	490	552	1,394	1,013	1,338	
純資産合計	4,054	4,083	6,606	4,900	7,433	6,964	4,432	5,485	3,239	4,902	
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	
キャッシュフロー計算書 (百万円)											
営業活動によるキャッシュフロー	-211	-754	-2,074	-1,659	-1,677	-1,266	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325	
投資活動によるキャッシュフロー	-4	-116	-117	-411	-1,332	314	1,489	-44	-78	-26	
財務活動によるキャッシュフロー	2,963	663	4,611	-1	4,057	544	-3	3,658	1,164	4,272	
財務指標											
総資産利益率 (ROA)	-7.6%	-15.1%	-36.5%	-27.2%	-24.3%	-14.7%	-42.3%	-39.0%	-71.5%	-52.5%	
自己資本純利益率 (ROE)	-8.1%	-15.8%	-39.4%	-30.2%	-26.3%	-15.8%	-48.3%	-50.4%	-102.6%	-77.8%	
純資産比率	95.1%	95.8%	91.0%	89.1%	96.7%	93.4%	88.9%	79.7%	76.2%	78.6%	

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

*同社は、2019年7月付で普通株式4株につき1株の割合で株式併合を行った。2019年12月期の業績予想における1株当たり当期純利益については、当該株式併合の影響を考慮している。

直近更新内容

概略

2019年9月17日、シンバイオ製薬株式会社への取材を踏まえ、本レポートを更新した。

2019年8月7日、同社は2019年12月期第2四半期決算に関して発表した。

(決算短信へのリンクは[こちら](#)、詳細は業績動向の項目を参照)

同日、同社は2019年12月期通期業績予想の修正および中期経営計画の修正を発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

2019年12月期通期業績予想の修正

- ▷ 売上高：3,092百万円 (前回予想は4,465百万円)
- ▷ 営業損失：3,780百万円 (同3,587百万円)
- ▷ 経常損失：3,856百万円 (同3,612百万円)
- ▷ 当期純損失：3,859百万円 (同3,616百万円)
- ▷ 1株当たり当期純損失：167.66円 (同175.52円)

修正の理由

同社はトレアキシン®の国内販売においてアステラス製薬株式会社の連結子会社であるアステラス ドイツランド GmbH (以下、アステラスドイツ) から凍結乾燥注射剤を輸入し、品質検査・包装を行ったうえで、販売委託先のエーザイ株式会社を通じて市場へ供給している。当第2四半期中にアステラスドイツから輸入したトレアキシン®100mg製剤において、異物の混入及び外観不良などが認められたことを受け、これらの不良品を含むすべてのバッチを返品することとした。そのため、当初2019年第2四半期以降の出荷を予定していたバッチの一部が年内に出荷できず、2020年第1四半期に遅延する可能性があることから、2019年12月期通期業績予想を修正した。営業利益の減少は売上高の減少に起因するものだが、研究開発費など販売費及び一般管理費が当初予定していた5,053百万円から4,760百万円へと294百万円の減少が見込まれるため、営業利益への影響は限定的となる。

中期経営計画についても2019年12月期の業績予想の修正に伴い、2020年、2021年および2022年の3か年の影響を精査中であり、計画数値を確認次第、修正開示を行う予定である。

過去の会社発表は、[ニュース&トピックス](#)を参照

業績動向

四半期実績推移

四半期業績推移 (累計) (百万円)	18年12月期				19年12月期				19年12月期 (進捗率) 通期会予	
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q		
売上高	888	1,928	3,032	3,836	1,611	2,005			64.8%	3,092
前年比	2.1%	8.0%	25.5%	11.4%	81.4%	4.0%				-19.4%
売上総利益	250	573	924	1,173	609	529				
前年比	4.4%	12.4%	37.0%	13.7%	144.0%	-7.7%				
売上総利益率	28.1%	29.7%	30.5%	30.6%	37.8%	26.4%				
販管費	964	1,898	2,832	3,829	1,205	2,545				
前年比	26.1%	8.7%	-32.3%	-23.1%	25.0%	34.1%				
売上高販管費比率	108.5%	98.4%	93.4%	99.8%	74.8%	126.9%				
営業利益	-715	-1,325	-1,908	-2,656	-596	-2,015			-	-3,780
前年比	-	-	-	-	-	-				-
営業利益率	-	-	-	-	-	-				-
経常利益	-749	-1,378	-1,938	-2,749	-616	-2,069			-	-3,856
前年比	-	-	-	-	-	-				-
経常利益率	-	-	-	-	-	-				-
四半期純利益	-760	-1,389	-1,941	-2,753	-617	-2,070			-	-3,859
前年比	-	-	-	-	-	-				-
四半期純利益率	-	-	-	-	-	-				-

四半期業績推移 (百万円)	18年12月期				19年12月期			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
売上高	888	1,040	1,104	803	1,611	394		
前年比	2.1%	13.5%	75.1%	-21.8%	81.4%	-62.2%		
売上総利益	250	324	351	249	609	-79		
前年比	4.4%	19.5%	113.0%	-30.3%	144.0%	-		
売上総利益率	28.1%	31.1%	31.8%	31.0%	37.8%	-		
販管費	964	934	934	997	1,205	1,340		
前年比	26.1%	-4.9%	-61.7%	25.4%	25.0%	43.4%		
売上高販管費比率	108.5%	89.8%	84.6%	124.2%	74.8%	340.4%		
営業利益	-715	-610	-583	-749	-596	-1,419		
前年比	-	-	-	-	-	-		
営業利益率	-	-	-	-	-	-		
経常利益	-749	-629	-560	-811	-616	-1,453		
前年比	-	-	-	-	-	-		
経常利益率	-	-	-	-	-	-		
四半期純利益	-760	-629	-552	-812	-617	-1,453		
前年比	-	-	-	-	-	-		
四半期純利益率	-	-	-	-	-	-		

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

販売費及び一般管理費の内訳

四半期業績推移 (累計) (百万円)	18年12月期				19年12月期			
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q
販売費及び一般管理費	964	1,898	2,832	3,829	1,205	2,545		
前年比	26.1%	8.7%	-32.3%	-23.1%	25.0%	34.1%		
研究開発費	416	839	1,293	1,833	472	963		
前年比	5.3%	-0.1%	-52.3%	-39.3%	13.4%	14.8%		
研究開発費を除く販管費	548	1,059	1,539	1,996	733	1,582		
前年比	48.5%	16.9%	4.6%	1.8%	33.8%	49.3%		

四半期業績推移 (百万円)	18年12月期				19年12月期			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
販売費及び一般管理費	964	934	934	997	1,205	1,340		
前年比	26.1%	-4.9%	-61.7%	25.4%	25.0%	43.4%		
研究開発費	416	423	454	540	472	491		
前年比	5.3%	-4.9%	-75.7%	76.0%	13.4%	16.2%		
研究開発費を除く販管費	548	511	479	458	733	849		
前年比	48.5%	-4.8%	-15.2%	-6.4%	33.8%	66.0%		

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2019年12月期第2四半期実績

- ▷ 売上高：2,005百万円（前年同期比4.0%増）
- ▷ 営業損失：2,015百万円（前年同期は1,325百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：2,069百万円（前年同期は1,378百万円の経常損失）
- ▷ 当期純損失：2,070百万円（前年同期は1,389百万円の当期純損失）

売上高は、トリアキシン®の国内向け製品販売等により増収となった。

四半期推移では、売上高は第1四半期（2019年1-3月）の1,611百万円（前年同期比81.4%増）に対して、第2四半期（2019年4-6月）の売上高は394百万円（同62.2%減）となった。第2四半期中にアステラスドイツから輸入したトリアキシン®100mg製剤において、異物の混入および外観不良などが認められたことを受け、これらの不良品を含むすべてのバッチを返品することとした。そのため、第2四半期の売上高は第1四半期および前年同期と比較して減少した。同社はこの品質問題の解決のためにアステラス製薬に対して、当該製品の製造体制品質管理体制の改善を申し入れ、関係各社と連携し、供給の正常化に向けて取り組んでいるという。

売上総利益は529百万円（同7.7%減）、売上総利益率は前年同期比で3.3ポイント低下の26.4%となった。四半期推移では、第1四半期は売上総利益は609百万円（同144.0%増）、売上総利益率37.8%（同9.7ポイント上昇）となったが、第2四半期の売上総利益は-79百万円となった。第2四半期は売上高が低水準であったことに加え、トリアキシン®100mgの特定のバッチについて品質不良によるたな卸資産評価損188百万円を売上原価に計上した。

販売費及び一般管理費は、2,545百万円（前年同期比34.1%増）となった。研究開発費は963百万円（同14.8%増）となった。トリアキシン®の注射剤及び経口剤、リゴセルチブの注射剤及び経口剤の臨床試験費用が発生した。また、研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,582百万円（同49.3%増）となった。専門家等への支払報酬が542百万円（同85.5%増）となった。一方、人件費（役員報酬および給与手当の合計額）は248百万円（同3.0%減）となった。自社販売体制構築に向け、トリアキシンマネージャーを増員したが管理部門の人員の退職などもあり、人件費は抑えられた。

これらの結果、営業損失、経常損失、当期純損失の損失額は前年同期比で拡大した。

2019年12月期第2四半期累計期間における主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 2019年8月に、2019年12月期通期業績予想の修正を発表した。当第2四半期中にアステラスドイツから輸入したトリアキシン®100mg製剤において、異物の混入および外観不良などが認められたことを受け、これらの不良品を含むすべてのバッチを返品することとした。そのため、当初2019年第2四半期以降の出荷を予定していたバッチの一部が年内に出荷できず、2020年第1四半期に遅延する可能性があることから、2019年12月期通期業績予想を修正した。
- ▷ ザ・メディシNZ・カンパニー社との仲裁手続について、第2四半期に進捗があり、2019年中に結論が出る見込みである。
- ▷ 2019年7月に新規のライセンスについて、基本条件を合意した。
- ▷ 2019年6月、米国食品医薬品局（FDA）は、移植非適応の再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象に、抗CD79b抗体-薬物複合体のpolatuzum abvedotin - piiqとベンダムスチン（商品名：トリアキシン®）＋リツキシマブ（BR療法）の併用療法を迅速承認したと発表した。同薬はジェネンテックとロッッシュにより開発され、日本では中外製薬が開発中である。
- ▷ 第2四半期累計期間において、第46回新株予約権等について、権利行使による新株の発行が行われた。その結果、資本金および資本準備金が前期末比1,272百万円ずつ増加した。
- ▷ 2019年4月、トリアキシン®液剤（急速静注製剤「RI製剤」）について、安全性の確認を主目的とした治験において、最初の患者登録を完了した。

- ▷ 2019年4月、抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とした第III相臨床試験における症例登録が完了した。登録症例のフォローアップ期間終了後、有効性および安全性を統計解析し、再発・難治性DLBCLを追加適応症として、2020年12月期第2四半期中の承認申請を目指す。
- ▷ 2019年3月、抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」に関し、腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更の承認を取得した。トリアキシン®が、キメラ抗原受容体T細胞（CAR-T細胞）療法「キムリア®点滴静注」（以下、キムリア®）の前処置として使用されることが可能となる。

国内

自社販売体制の準備について

同社は、販売委託先であるエーザイ株式会社（以下「エーザイ」）との事業提携契約が2020年12月に満了となることから、2018年10月にトリアキシン®の国内販売について自社による販売体制構築の準備を開始した。最重要経営課題である2021年12月期の黒字化とその後の収益の持続的拡大を図るべく、今後の事業展開を自社販売体制への移行により盤石なものとすることを計画している。

20名のトリアキシンマネージャーを自社販売体制における営業組織の中核と位置づけており、当第2四半期末は必要な増員と研修の実施および各担当地域への配置準備を計画通りに進めた。第3四半期には日本全国に配置を進める予定である。また、物流・流通・情報システムといったインフラの整備も順調に準備を進めている。

抗がん剤SyB L-0501（凍結乾燥注射剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI製剤）/SyB C-0501（経口剤）（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トリアキシン®）

抗がん剤トリアキシン®については、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2016年12月に製造販売承認を取得）、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2010年10月に製造販売承認を取得）、慢性リンパ性白血病（CLL）（2016年8月に製造販売承認を取得）を適応症として、業務提携先のエーザイを通じ、国内販売を行っている。

これらの適応症拡大を受けて、既に医療現場においては未治療（初回治療）領域でトリアキシン®が従来の標準療法であるR-CHOPに取って代わることで市場浸透が堅調に進んでいる中で、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドラインにトリアキシン®とリツキシマブの併用療法（BR療法）が新たに収載され、既承認のすべての適応症において、標準的治療の選択肢として推奨されることになった。これにより悪性リンパ腫における標準療法としてのトリアキシン®の位置づけが確立されつつある。同社の調査では市場占有率は未治療領域において55%（前年同期の市場占有率は52%）まで伸長した。上述のトリアキシンマネージャーの取り組みが本格化することで、2019年12月期後半からトリアキシン®の市場占有率が上昇する見込みであるという。

同剤については、既に承認を取得した上記の3つの適応症に加え、4つ目の適応症である再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）の第III相臨床試験を実施中で承認取得に向けて順調に進捗している。医療ニーズが高いことを受けて、2017年8月に第III相臨床試験を開始し、2018年1月の最初の患者登録以来着実に症例集積を推し進め、2019年4月に症例登録を完了した。今後、登録症例のフォローアップ期間が終了した後、承認申請へ向けて準備を進める。

2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社：米国ニュージャージー州）との間で日本における独占的ライセンス契約を締結したトリアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）への切替を目的として既にRTD製剤については医薬品医療機器総合機構との相談を経て承認申請に向けて準備中であり、2019年12月期下期には承認申請を実施する予定である。RI製剤については2018年11月に安全性の確認を主目的とした治験を開始し、2019年4月の最初の患者登録以来順調に症例集積が進捗している。同製剤は患者と医療従事者の負担を軽減することで付加価値を提供し、液剤ライセンスによる特許保護を通じてトリアキシン®の製品寿命を2031年まで延長することが可能となった。

また、2018年7月には製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得したことにより、低悪性度NHLの代表的な組織型であるCD20陽性の濾胞性リンパ腫（FL）に対して、リツキシマブのみならず、新規の抗CD20抗体製剤との併用が可能となった。2018年8月に販売開始されたオビヌツズマブとの併用療法の提供が可能となり、患者に新たな治療選択肢を提供することができるようになった。また、2019年3月に腫瘍特異性T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更の承認を取得したことにより、2019年5月に薬価収載された国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法「キムリア®点滴静注」の前処置としてトレアキシン®が使用されることが可能となった。

さらに、経営基盤の強化のため、トレアキシン®を同社事業のより強固な土台とすべく、現在開発・販売中の注射剤に加えて経口剤の開発を推進する。2018年1月に進行性固形がんを対象としてトレアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞り込むことを目的として、第Ⅰ相臨床試験を開始し、2018年5月に最初の患者登録後、症例集積を進めている。また、トレアキシン®の経口投与による免疫系への作用を評価すべく、自己免疫疾患の一種である全身性エリテマトーデス（SLE）に対する治療効果の確認を目的として、2018年5月に慶應義塾大学との間で共同研究契約を締結し、前臨床試験を実施した。試験成績を評価したうえで、臨床試験の実施も含め今後の方針を検討する予定である。

抗がん剤SyB L-1101（注射剤）/SyB C-1101（経口剤）（一般名：Rigosertib Sodium（リゴセルチブナトリウム））

リゴセルチブ注射剤については、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、オンコノバ社）が実施している国際共同第Ⅲ相試験の日本における臨床試験を2015年12月に同社が開始し、2019年7月時点で目標症例数50症例に対して44症例が登録された。当該国際共同第Ⅲ相試験は、現在の標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない、治療後に再発したまたは低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髄異形成症候群（高リスクMDS）を対象とし、全世界から20カ国以上が参加して実施している。2019年3月時点で全世界における目標の360症例数に対して75%の登録を達成している。この試験の成績を基に、欧米と同時期に日本での承認申請を欧米と同時期に行うことを計画している。

リゴセルチブ経口剤については、オンコノバ社が米国において初回治療の高リスクMDSを目標効能とする第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験（アザシチジン併用）を完了し、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とする第Ⅱ相臨床試験を進めている。同社はリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために2017年6月に国内第Ⅰ相臨床試験を開始し、2017年10月の最初の患者登録後、2019年6月に症例登録を完了した。同試験終了後、アザシチジンとの併用の第Ⅰ相試験を実施し、リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うべく、現在オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第Ⅲ相臨床試験に参加する予定である。同国際共同試験については2018年12月にオンコノバ社が承認審査の迅速化を目的としてSPA（特別プロトコル審査）をFDA（米国食品医薬品局）に申請しており、FDAの合意が得られ次第、第Ⅲ相臨床試験を開始する予定である。また、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とした開発については、オンコノバ社の開発状況を見据えながら日本からの参加を検討している。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

2015年10月に、ザ・メディシズ・カンパニー社（契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社）から導入したSyB P-1501については事業継続性について、同社が懸念を抱く事象が生じたため、患者の利益を最優先する観点から、2017年4月より新規症例登録を一時的に中断し、2017年11月にライセンス契約を解除。2018年2月に同製品の開発は中止した。

2017年10月にザ・メディシズ・カンパニー社によるライセンス契約の不履行に起因して生じた損害の賠償として、82百万米ドル（日本円換算で約90億円）の支払を求める仲裁を国際商業会議所の規定に基づき申し立てた。ザ・メディシ

ンズ・カンパニー社との仲裁手続は現在も継続中である。同社によれば、第2四半期において同仲裁手続きについて進捗があり、2019年中に結論が出る見込みであるという。

新規開発候補品

長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るために、新薬開発候補品のライセンス権利取得に向け、探索評価を継続して実施しており、複数のライセンス案件を検討中である。2019年7月に新規のライセンスについて、基本条件を合意した。

また、2016年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として100%出資の米国子会社SymBio Pharma USA, Incを設立した。同社は、当該子会社を活用し、新薬候補品の全世界におけるライセンス権利を積極的に取得し、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を行うことで、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めるとしている。

海外

SyB L-0501については、韓国、台湾、シンガポールにおいても販売されており、同社の製品売上は計画通り順調に推移した。

過去の四半期実績と通期実績は、過去の財務諸表へ

今期会社予想

(百万円)	18年12月期			19年12月期		
	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期会予	通期会予
売上高	1,928	1,907	3,836	2,005	1,087	3,092
売上総利益	573	600	1,173	529	450	979
売上総利益率	29.7%	31.4%	30.6%	26.4%	41.4%	31.7%
販売費及び一般管理費	1,898	1,931	3,829	2,545	2,214	4,759
売上高販管費比率	98.4%	101.3%	99.8%	126.9%	203.7%	153.9%
研究開発費	839	994	1,833	963	1,066	2,029
研究開発費を除く販管費	1,059	937	1,996	1,582	1,148	2,730
営業利益	-1,325	-1,331	-2,656	-2,015	-1,765	-3,780
営業利益率	-	-	-	-	-	-
経常利益	-1,378	-1,371	-2,749	-2,069	-1,787	-3,856
経常利益率	-	-	-	-	-	-
当期純利益	-1,389	-1,364	-2,753	-2,070	-1,789	-3,859
純利益率	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

業績予想

- ▷ 売上高：3,092百万円（前期比16.4%増）
- ▷ 営業損失：3,780百万円（前期は2,656百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：3,856百万円（前期は2,749百万円の経常損失）
- ▷ 当期純損失：3,859百万円（前期は2,753百万円の当期純損失）

同社は2019年8月に2019年12月期通期業績予想の修正を発表した。修正後の業績予想は前回予想と比較して、売上高で1,372百万円、営業損失で193百万円、経常損失で244百万円、当期純損失で243百万円の減額修正となった。

修正の理由

同社はトリアキシン®の国内販売においてアステラス製薬株式会社の連結子会社であるアステラス ドイツランド GmbH（以下、アステラスドイツ）から凍結乾燥注射剤を輸入し、品質検査・包装を行ったうえで、販売委託先のエーザイ株式会社を通じて市場へ供給している。当第2四半期中にアステラスドイツから輸入したトリアキシン®100mg製剤において、異物の混入及び外観不良などが認められたことを受け、これらの不良品を含むすべてのバッチを返品することとした。そのため、当初2019年第2四半期以降の出荷を予定していたバッチの一部が年内に出荷できず、2020年第1四半期に遅延する可能性があることから、2019年12月期通期業績予想を修正した。営業利益の減少は売上高の減少に起因するものだが、研究開発費など販売費及び一般管理費が当初予定していた5,053百万円から4,760百万円へと294百万円の減少が見込まれるため、営業利益への影響は限定的となる。

期初会社予想では、売上高は、トリアキシン®の薬価ベースの売上高10,100百万円（前期比18.8%増）を目標とし、前期比で増収となる見込みであった。前期において、同社はトリアキシン®の薬価ベースの売上高10,100百万円を目指したが、トリアキシン®の販売委託先であるエーザイが自社製品の販売に注力する方針となったことなどから、薬価ベースの売上高実績は8,500百万円となった。この対策として、同社は2018年12月期中に専門性の高い医薬情報担当者を10名（2017年12月時点では5名）の体制とした。今期はさらに医薬情報担当者を20名に増員する予定である。

上述の通り、当第2四半期中にアステラスドイツから輸入したトリアキシン®100mg製剤において、異物の混入及び外観不良などが認められたことを受け、売上高を下方修正し、前期比で減収の予想とした。ただし、同社によれば、この影響を除けば、パイプラインを含む事業の進捗は計画通りであり、中長期の成長見通しに変化はないという。

同社は、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ種を適応症とするトレアキシ[®]の市場浸透率について、2020年12月期末時点での市場シェア70%、2021年12月期末の市場シェア75%を目標としている。医薬情報担当者の増員の他に、以下が市場シェア上昇の要因になるとSR社は考える。

- ▷ 2016年12月以前において、国内では、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対し、リツキシマブとCHOP（シクロスファミド、ドキシソルピシン、ビンクリスチン、プレドニゾロン）等の化学療法（CHOP-R）との併用が標準的な治療として用いられていたが、2018年7月に医療従事者向け診療ガイドライン2018年版の改訂においてトレアキシ[®]が未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対する標準療法として新たに収載された。
- ▷ 2012年12月に米国血液学会において、未治療例の低悪性度非ホジキンリンパ腫を対象にリツキシマブとトレアキシ[®]の併用療法（B-R療法）とCHOP-R療法を比較した第III相臨床試験が実施され、B-R療法が優れた有効性および安全性を示すことが報告されている（「事業内容」の項参照）。

販売費及び一般管理費は4,759百万円（前期比24.3%増）となる見込みである。

- ▷ 研究開発費は2,029百万円（同10.7%増）を計画している。トレアキシ[®]においては再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）、トレアキシ[®]液剤（RTD製剤及びRI製剤）、トレアキシ[®]経口剤、リゴセルチブにおいては注射剤、経口剤の開発を進める。
- ▷ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は2,730百万円（同36.8%増）を予定している。医薬情報担当者の増員に伴い人件費および活動コストが増加する見込みである。上述の通り、トレアキシ[®]の市場シェア上昇および2020年12月期の自社販売体制構築に向け、医薬情報担当者を前期の10名から20名に増員する計画としている。また、専門家に対する支払報酬が増加する見込みである。

パイプラインの主な開発計画は以下の通りである。

トレアキシ[®]

- ▷ r/r DLBCLについては、2020年12月期第2四半期に承認申請予定であり、今期は第III相臨床試験において引き続き症例集積を進める。
- ▷ イーグル・ファーマシューティカルズ社から導入したトレアキシ[®]液剤については、RTD製剤は承認申請の準備（2019年12月期第3四半期に承認申請の予定）、RI製剤については安全性の確認を主目的とした治験（2018年11月開始、全36症例）をそれぞれ推進する。
- ▷ トレアキシ[®]経口剤については、既に開始した第I相臨床試験を進める。

リゴセルチブ注射剤及び経口剤

- ▷ リゴセルチブ注射剤については、国際共同第III相臨床試験において日本での症例集積が進行中であるが、引き続き開発を進める。
- ▷ リゴセルチブ経口剤については、症例集積進行中の単剤による国内第I相臨床試験で安全性を確認した後、オンコノバ社が計画しているアザシチジンとの併用による国際共同第III相臨床試験に速やかに参加すべく、準備を進める。

中長期見通し

中期経営計画（2019年12月期から2022年12月期）

同社は2018年12月期決算発表時に、2019年12月期から2022年12月期までの4期間の中期経営計画を発表した。中期経営計画で実行予定の重要なポイントは、自社販売体制の構築、トレアキシン®承認済適応症の売上拡大、トレアキシン®の適応症拡大、トレアキシン®の製品ライフサイクル延長である。

- ▷ 自社販売体制の構築：2020年12月のエーザイとの事業提携契約の満了次第、2021年初から自社販売体制を始動するための準備を進める。自社販売の開始及びその後のリゴセルチブ注射剤の上市を見据え、医薬情報担当者の増員、血液がん領域に特化した営業・マーケティング組織の構築及び高度で専門的な教育制度の整備を2020年上半期に完了する。
- ▷ トレアキシン®承認済適応症の売上拡大：未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫を適応症とするトレアキシン®について、さらなる市場浸透を進め、2020年末時点でのシェア70%達成を目指す。
- ▷ トレアキシン®の適応症拡大：再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症とした第III相臨床試験を終了した後、2020年第2四半期の承認申請を行い、2021年第3四半期に販売を開始する。
- ▷ トレアキシン®の製品ライフサイクル延長：トレアキシン®RTD製剤を2021年第1四半期、トレアキシン®RI製剤を2022年上半期に順次発売し、現行の凍結乾燥品から液剤への切り替えを2021年末には90%まで進め、2022年末の100%達成を目指す。2021年の平均浸透率は60%を目指す。

中期経営計画の業績目標

上述の実行計画に基づき、2021年12月期の黒字化とその後の継続的な利益計上を目指し、以下の業績目標を掲げている。なお、2019年8月に発表した2019年12月期通期業績修正に伴い、中期経営計画は精査中であり、計画数値を確認次第、修正を行う予定である。以下の中期経営計画の説明では、2019年12月期会社予想の修正のみを反映している。

売上高はトレアキシン®の承認済み適応症の市場浸透率上昇、適応症の拡大（再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加）などによる増加を計画している。利益面では、売上高の増収効果に加え、自社販売への移行で、トレアキシン®の販売に伴う利益を取り込み、売上総利益率が上昇し、大幅な増益となる計画である。自社販売体制の構築・運営にかかわる費用の増加は見込んでいるが、自販体制による売上総利益の増加は当該費用の増加を大きく上回るとSR社は考えている。なお、自販体制は血液疾患領域に特化し、トレアキシン®に加え、リゴセルチブの販売も行う予定であるという。

中期経営計画の業績目標

(百万円)	18年12月期 実績	19年12月期 会予	20年12月期 目標	21年12月期 目標	22年12月期 目標
売上高	3,810	3,092	3,282	9,132	11,282~11,809
営業利益/損失	-2,656	-3,780	-5,180	1,225	2,084~2,464
経常利益/損失	-2,749	-3,856	-5,224	1,181	2,040~2,420
当期純利益/損失	-2,753	-3,859	-5,228	1,005	1,736~2,060

出所：同社資料をもとにSR社作成

中期経営計画の売上高目標

売上高については、トレアキシン®の製品売上がその大半を占めている。製品売上の目標数値について、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ種の市場浸透率上昇、自社販売体制への移行、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加によって、増加する計画である。

未治療の低悪性度非ホジキンリンパ種の市場浸透率上昇

同社は、2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ種を対象とするトレアキシン®の追加適応承認を取得し、2018年12月期第3四半期の同適応症のトレアキシン®のシェアは56%となった。トレアキシン®の売上高（薬価ベース）は2016

年12月期の4,800百万円から2018年12月期に8,500百万円まで増加したが、同社によれば、その増加分（3,700百万円）の大部分が同適応症によるものであったという。

同社は、以下の理由から、未治療の低悪性度非ホジキンリンパ種を適応症とするトリアキシン®の市場浸透率について、2020年12月期末時点での市場シェア70%を目標としている。

- ▷ 2016年12月以前において、国内では、未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対し、リツキシマブとCHOP（シクロスファミド、ドキシソルピシン、ビンクリスチン、プレドニゾロン）等の化学療法（CHOP-R）との併用が標準的な治療として用いられていた。2018年7月に医療従事者向け診療ガイドライン2018年版の改訂においてトリアキシン®が標準療法として新たに収載された。
- ▷ 2012年12月に米国血液学会において、未治療例の低悪性度非ホジキンリンパ腫を対象にリツキシマブとトリアキシン®の併用療法（B-R療法）とCHOP-R療法を比較した第III相臨床試験が実施され、B-R療法が優れた有効性および安全性を示すことが報告されている（「事業内容」の項参照）。
- ▷ トリアキシン®の説明を行う専門性の高い医薬情報担当者について、2018年12月期の10名から2019年12月期には20名に増員し、2020年12月期には60名の体制とする。これにより、トリアキシン®の市場浸透率上昇を図る。

自社販売体制への移行

2020年12月期まで、同社はトリアキシン®の販売をエーザイに委託しており、その売上高はエーザイへの製品出荷売上を計上している。2020年12月期でエーザイとの独占販売契約は終了し、2021年12月期から同社はトリアキシン®を自社で販売する体制に移行する。SR社では、2020年12月期以前において、同社からエーザイへの製品出荷売上価格は薬価の50%程度であるが、2021年12月期以降、自社販売体制に移行後には、同社から医薬品卸業者への製品出荷売上価格は薬価の90%程度になると考えている。この理由から、仮に数量が変化しないとしても、売上価格の上昇によって2021年12月期は前期比で大幅増収となる計画としている。

なお、2021年からの自社販売体制への移行に伴い、同社製品の出荷先がエーザイから医薬品卸業者へと切り替わることに先駆けて、2020年末に向けエーザイ在庫を縮減する必要がある。そのために、市場の実需を反映したトリアキシン®の薬価ベースの売上については堅調に推移するものの、エーザイ向け製品の出荷を2020年上半期末を目途に終了する予定である。2020年の同社売上はその相当分減少することを見込んでいる。

再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加

再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加について、同社は2021年12月期第2四半期に承認取得を計画している。2021年12月期第3四半期以降に同適応症のトリアキシン®を販売開始する予定であり、2021年12月期以降のトリアキシン®製品売上の拡大を見込んでいる。2022年については同適応症における市場浸透率の変動幅を想定した上で売上高を算定し目標数値としている。

再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加による影響を推測するうえでの参考として、同社によれば、再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫・マンツル細胞リンパ腫の患者数9,336人、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫の患者数6,967人、合計で16,303人であった。これらの適応症に対するトリアキシン®の薬価ベースの2019年12月期売上高目標は10,100百万円である。それに対して、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の患者数は18,672人である。

中期経営計画における売上総利益のイメージ

過去の同社の業績推移から、同社はエーザイ向けに30%程度の売上総利益率でトリアキシン®を出荷しているとSR社は推測している。上述の通り、2021年12月期以降、トリアキシン®の販売はエーザイへの委託から自社販売に切り替わり、同

社の出荷先はエーザイから医薬品卸業者に変わる。これにより同社は、従来から得ていた売上総利益に加え、2020年12月期までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイの製品仕入価格とエーザイから医薬品卸業者へ出荷価格の差額）も獲得することになる。SR社では自社販売に切り替わった場合に同社が得る売上総利益率は60～70%になると推測している。

また、中期的にトリアキシン®の仕入先の変更によって、売上総利益率が変化する可能性もあるとSR社は考えている。同社はトリアキシン®凍結乾燥剤はアステラス ドイツランド社より仕入れているが、トリアキシン®RTD製剤およびRI製剤は、イーグル・ファーマシューティカルズ社から仕入れることになる。同社は、トリアキシン®RTD製剤を2021年第1四半期、トリアキシン®RI製剤を2022年上半年に順次発売し、現行の凍結乾燥剤から液剤への切り替えを2021年末には90%、2022年末には100%とする。

中期経営計画における販売費及び一般管理費のイメージ

販売費及び一般管理費については、主に研究開発費、その他販売費及び一般管理費に区分した。

研究開発費

中期経営計画において、研究開発費については、トリアキシン®及びリゴセルチブ注射剤と経口剤からなる既存パイプラインの最新の開発計画の想定に基づいて費用を計上している。また、新規開発候補品について、2021年12月期の収益への影響を考慮しながら、長期的な成長機会を確保するため、探索・評価し、ライセンス確保の検討を継続するとしている。

- ▷ 2019年12月期通期会社予想では研究開発費は2,029百万円（前期比24.3%増）を見込む。トリアキシン®においては再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）、トリアキシン®液剤（RTD製剤及びRI製剤）、トリアキシン®経口剤、リゴセルチブにおいては注射剤、経口剤の開発を進める。
- ▷ 2020年12月期の研究開発費は前期比で増加する見込みである。トリアキシン® RI製剤およびリゴセルチブ経口剤の臨床試験費用を計上する。また、トリアキシン®RTD製剤について、2020年12月期第4四半期の承認取得を計画しており、それに伴うマイルストーン支払いを見込んでいる。
- ▷ 2021年12月期以降の研究開発費は2020年12月期と比較して減少する見込みである。トリアキシン® RI製剤およびリゴセルチブ経口剤の臨床試験費用が減少する予定である。2022年12月期の営業利益目標は2,084～2,464百万円のレンジとなっているが、これは売上高目標をレンジで設定していることに加え、新薬候補品の導入可能性を踏まえ、その場合の契約一時金、研究開発費の増加などを想定に入れていることによる。

その他販売費及び一般管理費

その他販売費及び一般管理費については、主としてトリアキシン®のマーケティング業務、生産物流業務、事業開発業務、管理業務関連費用で構成される。2020年12月期のエーザイとのトリアキシン®の独占販売契約の満了に伴い、2021年12月期からのトリアキシン®の自社販売に向けて、2019年12月期以降、自社販売体制の構築・運営に係わる費用を計上している。主に医薬情報担当者の増員に伴う人件費および活動コストの増加を見込んでいる。

- ▷ 2019年12月期通期会社予想では研究開発費以外のその他販売費及び一般管理費は2,730百万円（前期比36.8%増）を予定している。医薬情報担当者の増員に伴い人件費および活動コストが増加する見込みである。2018年12月期に医薬情報担当者の数を10名に増員し、2019年12月期には20名にまで増やす計画である。
- ▷ 2020年12月期は研究開発費以外のその他販売費及び一般管理費は2019年12月期と比較して増加するとSR社は考えている。医薬情報担当者を2019年12月期の20名から60名に増員する予定であることが理由である。ただし、2020年12月期に増員を予定している40名について、30名程度はプロモーションパートナー（製薬会社の営業員とも協力）またはがん専門契約MRを活用することを検討しているという。また、医薬情報担当者以外の組織においては必要最小限の人員配置を計画しているという。

資金計画

資金計画については、黒字化が実現する2021年までに必要な事業資金を確保すべく、2018年4月に第45回乃至第47回新株予約権の発行を機関決定した。同新株予約権の割当ては、導入済パイプラインの開発及び自社販売体制の構築のための資金需要及び長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入やM&A等の投資を目的とした資金需要を基本的に賄うことができる水準を確保している。

事業内容

事業概要

欧米バイオベンチャー企業等から新薬候補品の開発権、販売権を取得し、製品化

同社は、現社長の吉田文紀氏が、医療ニーズは高いものの、患者数が相対的に少ないとの理由から手つかずとなっている「空白の治療領域」に新薬を届けたいという想いから、2005年3月に設立した。主に海外の製薬企業またはバイオベンチャーから新薬候補品の開発権、販売権を取得し、臨床試験、承認取得を経て、製品化による収益獲得を図っている。

5つの事業戦略を推進

- **ポストPOC戦略**：既にヒトで有効性や安全性が確立されている（第Ⅰ相臨床試験以降の）新薬候補品を導入することで、開発リスクの低減を図る。
- **スクリーニング戦略**：新薬候補品の決定に際して、承認取得、収益貢献の可能性が高い候補品を独自のネットワークとスクリーニングプロセスにより選定する。さらに、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB）で絞り込みを行い、承認取得確率を高める。
- **ラボレス・ファブレス戦略**：臨床試験、製品製造を外部委託し、固定費を抑制する。
- **ニッチ市場戦略**：市場規模が限定的であるため、大手製薬会社の開発姿勢が消極的である一方、医療ニーズの高いがん・血液・ペインマネジメントに対する治療薬を開発対象とする。この戦略により、競争が少ないニッチ市場の中で、高シェア獲得を目指す。
- **グローバル展開戦略**：新薬の開発に関して、国内のみならずグローバルの権利も確保も目指し、売上拡大の機会を図る。

同社は厳格な絞り込みの結果、候補品の中から厳選した新薬候補品を導入している。

通常、医薬品の開発は基礎研究から製造販売承認取得まで10～17年間の期間を要する。また、一般に、化合物開発から医薬品としての製造販売承認取得に至る確率は10万分の1といわれる。同社は、第1号開発品トリアキシン®において、導入から約5年で国内製造販売承認を取得した。さらに、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した実績を有する。

また、同社における新薬候補品の探索・評価力を示す実績として、国内第Ⅰ相臨床試験実施中のリゴセルチブの契約金額があげられる。同社は2011年7月、リゴセルチブの米国第Ⅱ相試験終了時に、国内およびアジア地域における独占開発権・販売権をオンコノバ社（Onconova Therapeutics, Inc.）から取得した。それに対し、同社のリゴセルチブ導入から1年以上経過した2012年9月、バクスター社（Baxter International, Inc.）は、欧州市場における同様の権利取得に一時金500万ドル、総額565万ドルを支払う契約をオンコノバ社と締結した。

主要パイプライン（開発品）はトリアキシン®（凍結乾燥注射剤）、トリアキシン®RTD製剤及びRI製剤、リゴセルチブ注射剤及び経口剤

トリアキシン®（凍結乾燥注射剤）

同剤は悪性リンパ腫を対象とした抗がん剤である。従来薬と比較して他の薬剤に抵抗性となった患者に対して有効性と安全性の点で優位性があることが認められている。同社は国内において、トリアキシン®について、以下の通り、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫の承認を取得した。

- ▷ 再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫：オーファンドラッグ（希少疾病医薬品）の指定を受け、2010年10月に同適応症について国内における製造販売承認を取得

- ▷ 慢性リンパ性白血病：2016年8月に効能追加の承認を取得
- ▷ 未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫：2016年12月に効能追加の承認を取得

2019年2月現在、同剤の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL：Diffuse Large B-cell Lymphoma）を適応症とした第III相臨床試験を進行中である。

トリアキシン®RTD製剤及びRI製剤

2017年9月、同社は、Eagle社との間でトリアキシン®のRTD製剤およびRI製剤の日本における開発・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結した。現行のトリアキシン®凍結乾燥注射剤（FD）については、国内で独占的に販売できる期間が2020年後半に切れ、後発品の対策が課題であった。2020年12月期第4四半期にRTD製剤の承認取得、2022年12月期にRI製剤の承認取得・市場投入を進める。これにより、医療現場において、現行の凍結乾燥品より医療従事者の作業負荷が軽いトリアキシン®RTD製剤及びRI製剤への切り替えを目指し、トリアキシン®凍結乾燥注射剤の後発品（後発品の承認申請は2020年後半から可能となる。後発品が市販されるとしても、その市販開始時期は2022年前後とSR社は推測）の普及を抑制する計画である。同社はトリアキシン®RTD製剤及びRI製剤の独占的ライセンス契約によって、製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能となる。

リゴセルチブ

リゴセルチブは、骨髄異形成症候群（MDS）の治療薬として開発されている。同社によれば、同薬は注射剤、経口剤、双方の剤型を併せ持ち、比較的安全性が高いため、単剤のみならず他の抗がん剤と併用が可能である。

リゴセルチブ（注射剤）は、2014年2月に、オンコノバ社が欧州において実施した再発・難治性MDSを対象とする第III相臨床試験の部分集団解析結果で有効性が示された。国内では、第I相臨床試験の症例登録が2015年1月に完了している。オンコノバ社が2015年8月から、標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない（HMA不応）、または治療後に再発した高リスクMDS患者を対象として国際共同第III相臨床試験（全世界から20カ国以上が参加）を行っている。国内において、同社が2015年12月から、オンコノバ社が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を行っている。2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、事前に計画した統計学的な基準に基づき症例数を増加の上で当該試験を継続することを決定している。同社はこの成績を基に、欧米と同時期に日本での承認申請を行うことを計画している。

リゴセルチブ（経口剤）は、国内では、同社が高リスクMDSを対象とした単剤での第I相臨床試験を実施中である。同試験で安全性を確認した後、アザシチジンとの併用試験を開始し、その後、オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第III相試験への参加を検討している。

収入源は、マイルストーンとトリアキシン®の製品売上

同社の収益源は、マイルストーン収入と製品売上高である。同社は創業以来、2008年12月期を除いて営業損失を継続している（2008年12月期は、トリアキシン®の国内独占販売権をエーザイに許諾したことに伴う契約一時金を計上したことから、営業利益は黒字となった。「過去の業績」の項参照）。

2019年12月期会社予想の営業損失は3,587百万円、経常損失は3,612百万円、当期純損失は3,616百万円であり、中期経営計画（2019年12月期～2022年12月期）において、2020年12月期には営業損失が5,180百万円となる計画である。しかし、2021年12月期には営業利益1,225百万円を計上し、2022年12月期には営業利益2,084～2,464百万円となり、その後は営業利益を継続する計画としている。

事業戦略

同社は、一般的に新薬を開発する製薬企業と異なり、基礎研究を行わず、世界中の製薬企業及びバイオベンチャーから有望な新薬候補品を探索・評価し、導入する。

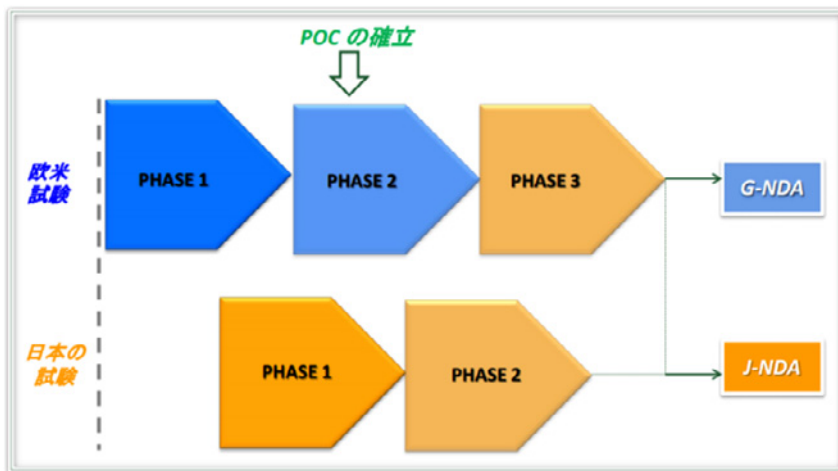
独自の新薬開発体制により、高確率、迅速な創薬を目指している。具体的には、基礎研究を行わず、ヒトでの臨床試験が行われている新薬候補物を導入し、臨床開発を行うことで、5～6年以内での承認・上市を目指す。また、独自に新薬候補品の情報を収集し、社内の専門家による絞り込みに加え、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB）による評価を受けることで、高確率での新薬承認を目指している。

同社は、開発のリスク低減、費用の効率化、収益機会の拡大のために、ポストPOC戦略、スクリーニング戦略、ラボレス・ファブレス戦略、ニッチ市場戦略、グローバル展開戦略といった5つの事業戦略を実行している。

ポストPOC戦略：ヒトでPOCが確立された化合物を開発対象とする

創薬系事業の特徴として、新薬の開発は長期間にわたり先行投資を強いられ、研究開発の成功確率は低いことがあげられる。一般に、研究所において何らかの生物・生理活性が認められた化合物が新薬として承認に至る確率は2万分の1～2万5千分の1といわれている。また、承認を取得した新薬のうち、上市・販売後に採算が取れるのは、その15～20%以下であるという。

同社の新規開発候補品は、主として既にヒトでPOC（Proof of Concept：新薬候補物質の有効性や安全性を臨床で確認すること）が確立されているものを導入することを原則としている。同社によれば、そのような基準で選択した新規開発候補品は、既に海外で先行開発が行われており、開発リスクを軽減できる。また、先行している海外の治験データ活用により、日本を含めアジア地域における開発期間短縮、開発コスト低減、成功確率を高めることが可能であるという。



出所：同社資料

スクリーニング戦略：独自の探索ネットワークと評価ノウハウを活用

独自の探索ネットワークと評価ノウハウを活用して、候補薬の絞り込みを行う

同社における新薬導入候補の選定では、世界中の製薬企業及びバイオベンチャー企業等が有する化合物の中から、同社が独自に開発データの入手や学界の議論から情報を収集し、社内の専門スタッフによるスクリーニングによる絞り込みを行う。候補品の探索チームは、製薬企業等において様々な開発プロジェクトに携わった経験をもつ社員で構成される。

導入先企業を訪問し、デューディリジェンスを実施

候補化合物の選定後は、候補品探索チームが化合物を保有している企業を訪問し、候補品の開発担当者に実験データの有効性、安全性など、公開情報のみでは確認できない詳細情報及び信頼性を導入先企業の経営者に直接、確認する。

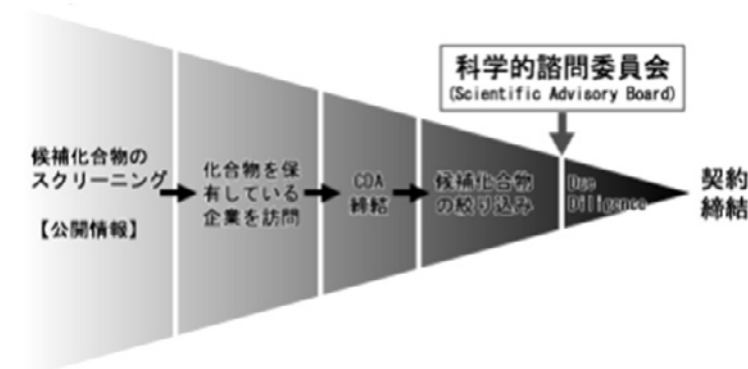
医薬品の専門家による候補品の検討会議で評価

その後、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB：Scientific Advisory Board、以下、SABという）において、関連分野における治療の研究に携わる社外専門家の厳密な評価を受けたうえで、最終的な導入候補品を決定する。

厳格な基準に合致した新薬候補品を導入

同社が会社設立から探索・評価を行った評価品目数は数百品目である。候補品の中から、同社は厳格な基準に合致した新薬候補品のみを導入している。その中の1品目が第1号開発品のトレアキシ[®]で、2019年2月現在、エーザイ株式会社（東証1部4523、以下エーザイとする）が国内で販売を行っている。トレアキシ[®]に関しては、追加適応症の臨床試験が進行中であるほか、トレアキシ[®]RTD製剤及びRI製剤の承認申請準備または臨床試験を進めている。また、骨髄異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブの注射剤、同経口剤の開発が進行中である。

同社における候補品の絞り込みプロセス



出所：同社資料

サイエンティフィック・アドバイザー・ボード（SAB）

SABは製薬企業の役員、研究責任者、医師などで構成され、年3回開催される。同社がスクリーニングで絞り込みを行った候補品に対し、専門家の観点で評価する。

開発品導入決定までのスクリーニングプロセスは、既に海外において有効性・安全性が確認された開発品を導入するポストPOC戦略と相まって開発リスク軽減と開発期間短縮につながる。また、候補品が医療の現場において求められるものかどうかに関わる医療ニーズの充足度に対する理解、及び上市後の収益予測精度向上に貢献している。

SABメンバー（敬称略）

氏名	略歴
George Morstyn	前アムジェン上級副社長グローバルディベロップメント 兼 CMO臨床試験および承認申請の担当役員として、製薬業界やFDAとのパイプ役を果たす
Robert Lewis	前アベンティス上級副社長 兼 ブリッジウォーター研究所最高責任者シンテックス、アベンティスなどの米大手製薬会社で、研究部門の責任者を歴任
堀田 知光	国立がん研究センター名誉総長、国立病院機構名古屋医療センター名誉院長
小川 一誠	愛知県がんセンター名誉総長
中畑 龍俊	京都大学IPS細胞研究所顧問、特定拠点教授、創薬技術開発室室長、日本血液学会名誉会員

須田 年生	熊本大学発生医学研究センター卓越教授、シンガポール国立大学がん研究所 教授、2012年日本血液学会副理事長
竹内 勤	慶應義塾大学医学部内科学教室（リウマチ・膠原病内科）教授
中尾 眞二	金沢大学医薬保健研究域医学系がん医科学専攻・細胞移植学（血液呼吸器内科）教授、2012年日本血液学会理事
高橋 康一	テキサス大学MDアンダーソンがんセンター白血病科、ゲノム医療科アシスタント・プロフェッサー

ラボレス・ファブレス戦略：少数経営のファブレス経営

同社は、外部企業との提携型経営の実践により、低コスト・高収益の経営を目指している。そのため、研究設備や生産設備を保有していない。開発候補品の探索・導入後は、開発品の開発戦略策定等の業務に専念し、そのほかに必要とされる定型的な開発業務、製品の製造は外注することにより低コストの医薬品開発・製造体制を実現している。

具体的には、開発については、臨床試験のデザイン、海外の臨床試験との連携、医学専門家との調整等は同社が主体となって手掛ける。定型的な開発業務は、外部へ業務委託する。また、製造についてはライセンス供給元、または国内外の製薬企業へ業務委託する。販売については、2021年12月期に自社販売を開始すべく体制の構築を準備しているが、2019年2月現在では、販売権は外部の企業に供与している。

ニッチ市場戦略：がん・血液・ペインマネジメントに特化

同社は、大型新薬（いわゆるブロックバスターと呼ばれ、売上高1,000億円を超えるもの）の追求ではなく、市場規模が100億円程度と小規模でも、医療上のニーズが高く、新薬の開発が遅れている治療領域に収益獲得機会があると捉えている。具体的には、参入障壁が高いと考えるがん・血液・ペインマネジメントの治療領域に特化している。

同社によれば、抗がん剤の市場規模は大きく、また高齢者の人口増加に伴い拡大傾向にある一方、抗がん剤の対象疾患は多岐にわたり、がん腫により細分化されているため、各々のがん腫で見ると対象患者数が限られる治療領域が数多く存在する。そのような領域での抗がん剤の開発には、高度な専門性が求められ、開発の難度が高い半面、大手製薬企業は採算性などの問題から開発に着手しにくいのが実情である。

一方、このような対象患者数が限られる領域において新薬の承認を取得し、上市できれば、競合が少ないため高収益が実現可能であると同社は考えている。また、同領域で適応症拡大・新製品上市を積み上げていくことで、付加価値の高い製品に作り上げていく。その具体例として、同社の第1号開発品であるトリアキシン[®]は、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した。

グローバル展開戦略

同社は、トリアキシン[®]、リゴセルチブに関しては、中国、韓国、台湾、シンガポールを対象とした4カ国においても、日本同様に新薬の開発、販売を推進している。

パイプライン

パイプライン

商品名/ 開発番号	権利地域	適応症	開発状況	販売提携先
トレアキシン SyB L-0501 (凍結乾燥注射剤)	日本	再発・難治性低悪性度 非ホジキンリンパ腫 マンツル細胞リンパ腫	承認取得 (2010年10月)	エーザイ株式会社 (共同開発権・独占の販売権供与)
		再発・難治性中高悪性度 非ホジキンリンパ腫 (びまん 性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL))	第III相臨床試験中	
		未治療低悪性度 非ホジキンリンパ腫 マンツル細胞リンパ腫	承認取得 (2016年12月)	
		慢性リンパ性白血病	承認取得 (2016年8月)	
	シンガポール	低悪性度B細胞性 非ホジキンリンパ腫 慢性リンパ性白血病	承認取得 (2010年1月)	エーザイ株式会社 (独占の開発権・独占の販売権供与)
	韓国	慢性リンパ性白血病 多発性骨髄腫	承認取得 (2011年5月)	エーザイ株式会社 (独占の開発権・独占の販売権供与)
		再発・難治性低悪性度 非ホジキンリンパ腫	承認取得 (2014年6月)	
	中国	低悪性度 非ホジキンリンパ腫	臨床試験実施中	セファロン社 (米国) (独占の開発権・独占の 販売権供与)
	香港	低悪性度 非ホジキンリンパ腫	承認取得 (2009年12月)	
		慢性リンパ性白血病		
台湾	低悪性度 非ホジキンリンパ腫	承認取得 (2011年10月)	イノファーマックス社 (台湾) (独占 の開発権・独占の販売権供与)	
	慢性リンパ性白血病			
トレアキシン SyB L-1701 (RTD製剤)	日本	全適応症	申請準備中	—
トレアキシン SyB L-1702 (RI製剤)	日本	全適応症	臨床試験中	—
トレアキシン (経口剤) SyB C-0501	日本	全身性エリテマトーデス (SLE)	第I相臨床試験中	—
リゴセルチブ (注射剤) SyB L-1101	日本	再発・難治性高リスクMDS	国際共同第III相臨床試験中	—
リゴセルチブ (経口剤) SyB C-1101	日本	再発・難治性高リスクMDS (単剤)	第I相臨床試験中	—
		未治療高リスクMDS (アザシチジン併用)	第I相臨床試験準備中 国際共同第III相臨床試験準備 中	—

出所：会社資料よりSR社作成

2019年2月現在、主な承認申請準備中または開発中の主要なパイプラインは、以下の通りである。

- ▷ 再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫 (びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL)) を適応症とするトレアキシン®：第III相臨床試験症例登録中 (2017年8月に試験開始)
- ▷ トレアキシンについて、液化されたRTD製剤の申請準備、急速静注であるRI製剤の臨床試験：RTD製剤は申請準備中、RI製剤は2018年11月に臨床試験開始

- ▷ 再発・難治性の高リスクMDSを適応症とするリゴセルチブ注射剤：国際共同第III相臨床試験 症例登録中
- ▷ 高リスクMDSを適応症とするリゴセルチブ経口剤：第I相臨床試験症例登録中（2017年6月に試験開始）、アザシチジン併用第I相臨床試験準備中、アザシチジン併用国際共同第III相臨床試験準備中

SyB L-0501（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トレアキシン®）

SyB L-0501（以下、トレアキシン®とする）の主成分であるベンダムスチン塩酸塩は、1971年にドイツにおいて開発され、低悪性度非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、慢性リンパ性白血病などの悪性リンパ腫の治療薬として使用されている抗がん剤である。

トレアキシン®（ベンダムスチン塩酸塩）：旧東ドイツで開発。東西ドイツ統一後に、旧東ドイツで承認されていた適応症について再評価され、低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫及び慢性リンパ性白血病を対象とした臨床試験が実施された。ドイツでは2005年に未治療の進行期低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及び多発性骨髄腫の2疾患に適用が再承認された。また、2008年には未治療の慢性リンパ性白血病の適応症が追加申請された。2007年にはヨーロッパ各国でも順次承認された。米国においては2008年3月に承認され、同年10月に発売されている。

同社によれば、同剤は従来薬と比較して交叉耐性（当該薬物と類似の構造や作用を有する他の薬物に対しても耐性が生じることが認められない等の特徴を有しており、有効性と安全性の点で優位性があるという。同社は、2010年10月に再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症として同剤の国内製造販売承認を取得。2010年12月から販売提携先のエーザイで同剤を販売開始した。2016年8月にトレアキシン®の慢性リンパ性白血病に対する効能追加、2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対する効能追加の承認を取得した。さらに、2017年8月に、同剤の再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL））について、適応症追加に向けた第III相臨床試験開始した。

悪性リンパ腫

悪性リンパ腫は、白血球の中のリンパ球ががん化した悪性腫瘍

悪性リンパ腫は、白血球の中のリンパ球ががん化した悪性腫瘍で、リンパ節に腫瘤ができる疾患である。首やわきの下、足の付け根などリンパ節の多いところに、通常は痛みのないしこりとしてあらわれる。数週から数カ月かけ持続的に増大して縮小せずに病状が進むと、しこりや腫れは全身に広がり、進行するに従って全身的な症状がみられるようになる。全身的な症状としては発熱、体重の減少、寝汗を伴うことがある。その他には、体のかゆみや皮膚の発疹、腫瘤により気道や血管、脊髄などの臓器が圧迫されると、気道閉塞、血流障害、麻痺などの症状があらわれる。

ホジキンリンパ腫と非ホジキンリンパ腫に分けられ、日本人の悪性リンパ腫では、ホジキンリンパ腫は4%程度であり、大半が非ホジキンリンパ腫である。非ホジキンリンパ腫では70～80%がB細胞性で、残る20～30%がT/NK細胞性である。全国がん（成人病）センター協議会（全がん協）によれば、悪性リンパ腫の病期別5年相対生存率（対象：2001～2005年に診断を受けた患者）は、下表の通りである。ホジキンリンパ腫（全症例）の5年相対生存率は76.0%、非ホジキンリンパ腫の（全症例）の5年相対生存率は68.3%であった。

悪性リンパ腫の組織別頻度

分類	頻度
非ホジキンリンパ腫	94%
B細胞腫瘍	69%
T/NK細胞リンパ腫	25%
ホジキンリンパ腫	4%
その他	2%

出所：日本リンパ網内系学会の資料を元にSR社作成

悪性リンパ腫の病期別5年相対生存率（対象：2001～2005年に診断を受けた患者）

病期	ホジキンリンパ腫		非ホジキンリンパ腫	
	症例数（件）	5年相対生存率（%）	症例数（件）	5年相対生存率（%）
I	19	91.4	462	86.7
II	46	84.6	385	74.3
III	22	65.3	319	64.0
IV	19	44.7	535	54.6
全症例	122	76.0	1,844	68.3

出所：全国がん（成人病）センター協議会の生存率共同調査（2015年11月集計）

*化学療法のみでなく放射線治療やその他の何らかの治療を受けた患者が対象となっている。

*がんの進行の程度は、「病期（ステージ）」として分類し、悪性リンパ腫ではI期、II期、III期、IV期の4つに分類される。

悪性度によって治療方針が決定、病型分類ごとに臨床試験が必要

腫瘍細胞の病型分類に従って病理組織学的に診断が行われ、悪性度（進行速度により、高悪性度、中悪性度、低悪性度に分類）や病気の広がりやの程度を表す臨床病期などに従って治療方針が決定される。医薬品の製造・販売のための承認取得には、病型分類ごとに臨床試験を実施する必要があり、また、臨床試験の対象となる患者は、未治療患者、再発・難治患者（過去に治療を受けたが、治療効果が得られない患者）ごとに分類される。

トリアキシン®はアステラスから導入、エーザイと国内共同開発、エーザイ他に販売権を付与

同社は、トリアキシン®に関して、2005年12月にアステラス製薬株式会社（東証1部 4503、以下、アステラス製薬とする）の欧州子会社であるアステラス ドイツランド社（ドイツ、Astellas Deutschland GmbH）から、日本における独占的開発権及び独占的販売権の許諾を受けた。その後、2007年4月に中国、台湾、韓国及びシンガポールの4カ国に契約対象地域を拡大した。

一方、同社は、2008年8月に、エーザイに対し、日本におけるトリアキシン®の共同開発権及び独占的販売権を許諾した。その対価として、同社はエーザイから契約一時金及び臨床試験段階に応じたマイルストーンを受け取った。また、同剤をエーザイに販売することにより、販売収益を得ること、同剤に関わる開発費用は、同社とエーザイでそれぞれ折半することとなった（「収益構造」の項参照）。

台湾においてはイノファーマックス社（台湾、InnoPharmax, Inc.）、中国においてはセファロン社（米国、Cephalon, Inc.）、韓国、シンガポールにおいてはエーザイにトリアキシン®の独占的開発権及び独占的販売権を許諾している。同社はその対価として、契約一時金及びマイルストーンを受け取り、同剤をこれらの企業に販売することにより、販売収益を得ている。

2010年10月に再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を対象に承認取得

同社は、2005年12月のトリアキシン®の導入から約5年後の2010年10月に再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症として日本国内における製造販売承認を取得した。2010年12月に同剤の国内販売を開始し、販売開始から6年経過後の2016年12月期の国内売上高（薬価ベース）は4,720百万円に至った。

同社によれば、国内における再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫の患者数は9,336人と推測され、ピーク時売上高（薬価ベース）は4,500～5,000百万円を想定しているという。

トリアキシン®の適応症追加、RTD製剤及びRI製剤、経口剤

2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫、2016年8月に慢性リンパ性白血病の国内製造販売承認を取得

同社は、トリアキシン®の適応症追加について、2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫、2016年8月に慢性リンパ性白血病の国内製造販売承認を取得した。

また、2017年8月に、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL：Diffuse Large B-cell Lymphoma））について、適応症追加に向けた第III相臨床試験開始した。

トリアキシン®の適応症における対象患者数と開発状況

		非ホジキンリンパ腫 低悪性度B細胞性	中高悪性度	慢性リンパ性白血病
初回治療	対象患者数	対象患者数：6,967人	/	対象患者数：656人
	承認取得/目途	承認取得済み		承認取得済み
	開発状況	2016年12月承認取得		2016年8月承認取得
再発・難治性	対象患者数	対象患者数：9,336人	対象患者数：18,672人	
	承認取得/目途	承認取得済み	国内第II相臨床試験終了	
	開発状況	2010年10月 国内承認取得	国内第III相臨床試験	

出所：会社資料よりSR社作成

未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症とするトリアキシン®

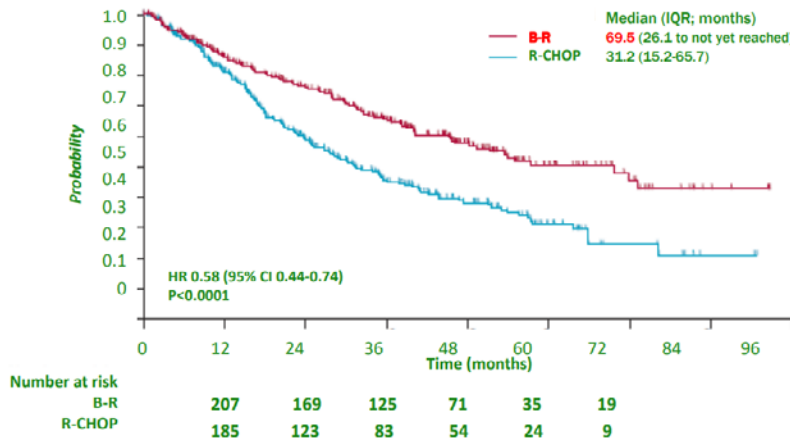
同社によれば、2016年12月以前において、国内では、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対し、リツキシマブとCHOP（シクロスファミド、ドキシソルピシン、ビンクリスチン、プレドニゾロン）等の化学療法（CHOP-R）との併用が標準的な治療として用いられていた。2016年12月にトリアキシン®について、未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫の適応症追加承認を取得した。その後、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版において、トリアキシン®が未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対する標準的治療の選択肢として新たに記載された。

海外では、2012年12月に米国血液学会において、未治療例の低悪性度非ホジキンリンパ腫を対象にリツキシマブとトリアキシン®の併用療法（B-R療法）とCHOP-R療法を比較した第III相臨床試験が実施され、B-R療法が優れた有効性および安全性を示すことが報告されている。これらの結果に基づき、米国および欧州の代表的な診療ガイドラインであるNCCN（National Comprehensive Cancer Network）またはESMO（Europe's leading medical oncology society）において、リツキシマブとトリアキシン®の併用療法（B-R療法）が未治療の選択肢として推奨されている。

当該比較対象試験は、ドイツにおける81施設で2003年9月から2008年8月までに新たに診断されたステージIIIまたはIVの低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫の患者を対象として、CHOP-R療法とリツキシマブとトリアキシン®の併用療法（以下、B-Rとする）が行われた。B-R群274例、CHOP-R群275例が登録され、観察期間中央値45カ月で、無増悪生存期間（PFS）中央値はB-R群69.5カ月に対し、CHOP-R群31.2カ月（ $p < 0.0001$ ）とB-R群が有意に優れていた。さらに次治療開始までの期間、全生存期間、安全性の比較においても、B-RがCHOP-Rを上回っていたという。

p値：グループや関係性における違いが偶然生じる可能性を示す尺度であり、統計学的信頼性を示す。p値0.01は実験結果を偶然生じる確率が100回に1回あることを意味する。一般に5%未満の場合、データに統計学的有意差があるとされる。

未治療例の低悪性度非ホジキンリンパ腫を対象としたB-R療法とCHOP-R療法の比較試験の結果



Progression-free survival
 B-R=bendamustine plus rituximab
 R-CHOP=CHOP plus rituximab.

Bendamustine plus rituximab versus CHOP plus rituximab as first-line treatment for patients with indolent and mantle-cell lymphomas: an open-label, multicentre, randomised, Phase 3 non-inferiority trial.
 Rummel, Mathias J et al.
 The Lancet. Volume 381, Issue 9873, 1203 - 1210, 6 April 2013

出所：同社資料

2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫を適応症とするトレアキシシン®の承認を取得

同社は、トレアキシシン®の適応症追加について、2016年12月に未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫を適応症とするトレアキシシン®の国内製造販売承認を取得した。国内においても中期的にCHOP-R療法からB-R療法への切り替えが進むことを見込んでいるという。前述の通り、CHOP-R療法と比較したB-R療法の有効性、造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版への標準的治療の選択肢としての掲載などがB-R療法への切り替えを後押しする材料になるとSR社は考えている。

未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫の患者数・推定売上

同社によれば、未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫の患者数は6,967人と推測される。患者数は再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫より少ないが、CHOP-R療法からB-R療法への切り替えが進むことを考慮すれば、浸透率が高くなることが予想されることから、SR社では、同剤の同適応症のピーク時売上高（薬価ベース）は年間5,000～7,000百万円程度と予想している。

慢性リンパ性白血病を適応症とするトレアキシシン®

慢性リンパ性白血病を適応症とするトレアキシシン®は、欧米において、アステラス製薬社の欧州子会社が、承認を取得しており、国内においても「医療上の必要性の高い未承認薬・適応外薬検討会議」において、慢性リンパ性白血病に対する医療上の必要性の高い医薬品とされ、2012年6月にオーファンドラッグ（希少疾病医薬品）指定を受けた。

2016年8月に慢性リンパ性白血病を適応症とするトレアキシシン®の承認を取得

国内においては、同社はエーザイと共同で、2015年10月に、トレアキシシン®の慢性リンパ性白血病を対象とする第II相臨床試験を終了。2016年8月にトレアキシシン®の慢性リンパ性白血病に対する効能追加の承認を取得した。

患者数・推定売上

同社によれば、国内の慢性リンパ性白血病の患者数は656人と推測される。SR社では、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫を対象とするトレアキシシン®の売上高、患者数を参考に、同剤の同適応症のピーク時売上高（薬価ベース）は300～350百万円程度と推測する。

再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫を適応症とするトリアキシン®

中高悪性度非ホジキンリンパ腫は進行が早い反面、抗がん剤による治療効果が得られる患者では、治療が期待できる特徴がある。再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL、非ホジキンリンパ腫の一種で、発生頻度が最も高い）では、未治療としてCHOP-R療法が標準的治療として確立されている。

しかし、同社によれば、CHOP-Rによって未治療の約4割の患者が再発もしくは難治性となるとの報告があるという。これらの再発患者に対しては二次治療が実施され、65歳以下の患者では自家幹細胞移植を併用したより強力な化学療法が選択される。一方、これらの再発例では高齢者が過半数を占めており、高齢患者では身体機能の面で副作用に配慮した治療が選択される。高齢や合併症などを有する虚弱な患者では、治療選択肢が限られ、より安全で有効な治療法が求められている。

研究開発状況：2017年8月に再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症とするトリアキシン®の第III相試験を開始

第II相臨床試験で再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫の患者の予後を改善する可能性が示された

同社は、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫を対象とした第II相臨床試験（日韓共同試験）について、2012年3月に臨床試験データの分析・評価を完了した。当該第II相臨床試験は、治療歴を有する再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫を対象に、トリアキシン®とリツキシマブ併用時の有効性及び安全性を確認することを目的として実施された。その結果、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫の患者の予後を改善する可能性が示された。また、副作用は臨床的に管理可能であり、高齢者にも適用可能であった。

再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症としたトリアキシン®は2020年12月期に承認申請を行う予定

同社は独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA：Pharmaceutical and Medical Devices Agency、以下、PMDAとする）との協議を行い、2017年8月に再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症としたトリアキシン®の第III相試験の実施に至った。同試験の目的は、BR併用療法の有効性及び安全性の検証を行うもので、主要評価項目を抗腫瘍効果（ORR:Overall Response Rate）として、60症例の患者登録を予定している。同社は、2020年12月期第2四半期に承認申請、2021年12月期第3四半期に販売を開始する計画である。

トリアキシン®はCAR-T細胞医療の前処置として使用可能

2018年4月、ノバルティスファーマ株式会社は、25歳以下の再発・難治性B細胞性急性リンパ芽球性白血病（ALL）および再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の治療を対象とするキメラ抗原受容体T細胞医療（CAR-T細胞医療）であるCTL019（米国における製品名「Kymriah®」）の国内承認申請を行った。ノバルティス社は2018年5月に米国において、2回以上の治療が奏効しなかったDLBCLの成人患者の治療を対象とするCTL019の承認を取得した。SR社の認識では、ノバルティス社のCTL019は対象を2回以上の治療が奏効しなかった成人患者に限定していることが、同社におけるDLBCLを対象とするトリアキシン®とは異なっており、両者は競合するものではない。また、後述の通り、同社は2018年9月に、再発・難治性B細胞性急性リンパ芽球性白血病（ALL）および成人の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に対するCTL019の前処置として、トリアキシン®を使用可能とする変更承認申請を行った。

患者数・推定売上

同社によれば、国内における再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫）の患者数は18,672人である。SR社では、同剤の同適応症のピーク時売上高（薬価ベース）は年間8000～10,000百万円程度と推定している。

2017年9月にベンダムスチン塩酸塩（日本における商品名：トリアキシン®）のRTD製剤及びRI製剤に関するライセンス契約を締結

2017年9月、同社は、Eagle Pharmaceuticals, Inc.（Eagle社）との間でベンダムスチン塩酸塩（日本における商品名：トリアキシン®）のRTD製剤（RTD: Ready To Dilute）およびRI製剤（RI: Rapid Infusion）であるベンダムスチン液剤製品（Teva Pharmaceutical Industriesの米国商標：BENDEKA®）の日本における開発・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結した。同社は、Eagle社に対して1,250万米ドルの契約一時金及び承認取得時のマイルストーンを支払い、販売開始後に販売額目標達成に応じた販売マイルストーン及びロイヤリティを支払う。

凍結乾燥注射剤のトリアキシン®と比較して、RTD製剤は溶解作業が不要、RI製剤はさらに点滴時間を6分の1に短縮

従来のトリアキシン®は凍結乾燥注射剤で、患者への点滴前に医療従事者の手動による溶解作業が必要であった。それに対して、液化されたRTD製剤では、手動による溶解作業が不要であり、医療従事者の作業負荷が大幅に軽減されるという。また、急速静注であるRI製剤では、RTD製剤同様に溶解作業が不要であることに加え、点滴時間が凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分間と比較して、10分間に短縮される。

トリアキシン®の現在の製剤（凍結乾燥注射剤）とベンダムスチン塩酸塩（RTD製剤及びRI製剤）との比較

	RTD製剤	RI製剤	現在の製剤
一般名	ベンダムスチン塩酸塩		
剤形	液剤		凍結乾燥注射剤
溶解	不要		要（手動による溶解作業）
希釈	生理食塩液250mlで希釈	生理食塩液50mlで希釈	生理食塩液250mlで希釈
点滴時間	60分	10分	60分
規格	100mg/4mL		100mg/バイアル 25mg/バイアル
保管	冷蔵（2～8℃）		室温

トリアキシン®の製品ライフサイクルは2031年まで延長可能

凍結乾燥注射剤のトリアキシン®は2020年に再審査期間が終了し、その後、後発品の製造・販売が可能となる。同社によれば、凍結乾燥注射剤のトリアキシン®の再審査期間が終了した後でも、医療従事者の作業負担、患者への負担の点で優位にあるRTD製剤及びRI製剤を上市した場合、同社の独占販売期間は2031年まで続くという。これによって、トリアキシン®の製品ライフサイクルを延長し、後発品の普及を抑制することが可能となったとみている。

RTD製剤およびRI製剤は、米国市場においてはTeva社よりBENDEKA®という商品名で販売されている。BENDEKA®は発売後2年以内に米国においてベンダムスチン市場の97%のシェアを獲得している。

研究開発状況：RTD製剤は2020年12月期の承認取得を目指す

2019年2月現在、ベンダムスチン塩酸塩のRTD製剤及びRI製剤の承認申請準備または臨床試験中である。

RTD製剤については、従来型の凍結乾燥注射剤のトリアキシン®と溶解の要・不要が異なるだけで、成分、有効性、投与時間は同一であるため、臨床試験なしで承認申請が可能であり、2019年2月時点において、医薬品医療機器総合機構との相談を経て承認申請を準備中である。申請までの書類の準備期間、申請から承認までの期間を考慮し、2019年12月期中に承認申請を行い、2020年12月期の承認取得、2021年12月期第1四半期の販売開始を計画している。

一方、RI製剤は、従来型の凍結乾燥注射剤のトリアキシン®と投与時間が異なるため、臨床試験が必要である。同社は2018年11月に安全性の確認を主目的としたRI製剤の臨床試験（症例数36例）を開始した。RI製剤については2022年12月期上期の発売を計画しているという。

トリアキシン®（経口剤） SyB C-0501

同社はトリアキシン®（経口剤）の開発を推進することにより、固形がんや自己免疫疾患に取り組み、さらなる事業拡大の可能性を検討している。その取組みの中で、2018年1月に進行性固形がんを対象としてトリアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞り込むことを目的として、第Ⅰ相臨床試験を開始した。

トリアキシン®の再生医療等製品（CAR-T細胞医療）の前処置としての使用

2018年9月に、同社は抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」に関し、新たな効能効果として、再生医療等製品の前処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

2018年4月付でノバルティスファーマ株式会社により、25歳以下の再発・難治性B細胞性急性リンパ芽球性白血病（ALL）および成人の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に対する、国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）医療（「CTL019」）の製造販売承認申請が行われている。今後、同製品が承認された場合、これらの疾患に対してトリアキシン®がCAR-T細胞医療の前処置として使用されることが可能となる。トリアキシン®の新たな効能効果として、再生医療の領域が加わることとなる。

CAR-T細胞療法は、患者の血液から採取したT細胞に、細胞処理施設でキメラ抗原受容体（CAR：chimeric antigen receptor）を発現させる遺伝子改変技術を施す。改変されたT細胞（CAR-T細胞）を患者に輸注すると、CAR-T細胞はがん細胞を含む標的タンパクを発現する細胞を特異的に攻撃する免疫システムとしての役割を担う。「CTL019」は、患者自身の血液からT細胞を採取し、がん細胞やその他の細胞に発現するタンパク質CD19を特異的に認識し、がん細胞を攻撃するよう遺伝子を導入した免疫細胞医療で、「CTL019」の単回投与により治療を行う。

SyB L-1101（注射剤）／SyB C-1101（経口剤）（一般名：リゴセルチブ）

リゴセルチブは、マルチキナーゼ阻害作用を有する抗がん剤で、米国オンコノバ社（Onconova Therapeutics, Inc、以下、オンコノバ社とする）により米国及び欧州において、骨髄異形成症候群（MDS：Myelodysplastic Syndromes、以下、MDSとする）、及び固形がんを適応症として開発が進められている。同社によれば、リゴセルチブは、比較的安全性が高く他の抗がん剤と併用が可能であり、注射剤、経口剤、双方の剤型を併せ持つ。

オンコノバ社：米国に拠点を置く、バイオ医薬品に特化したバイオベンチャー企業。1998年の設立時より、低分子化合物のがん治療探索及び開発に注力し、自社の所有する125以上の新規化学療法薬候補からなる医薬品化学ライブラリーを基に、新規の分子・生物学的治療を目的とした低分子治療薬を発見、最適化してきた。

骨髄異形成症候群（MDS：Myelodysplastic Syndromes）

MDSは、急性骨髄性白血病への移行が30%程度見られる予後不良の難治性疾患である。血球を作る造血幹細胞に異常が生じ、十分な量の血球を作ることができなくなる。その結果、血球減少を起こす。異常な造血幹細胞から作られた血球は、形態が異常となることから、「異形成」と呼ばれる。症状としては、貧血、感染、出血傾向が高頻度で起こる。

MDSの患者が急性白血病に移行する比率は10～20%と言われている。しかし、血球減少症のための感染症や出血などにより死亡する場合もある。生存期間は3～5年程度であるが、10年以上の長期生存例もみられる。MDSを引き起こす環境因子や遺伝背景は明らかではないが、放射線治療や抗がん剤治療を受けた患者は発症するリスクが高まる（出所：日本成人白血病治療共同研究グループ資料をもとにSR社）。

MDSの重症度分類には国際予後スコアリングシステム（IPSS:International Prognostic Scoring System）が用いられている。IPSSスコアは、骨髄中の芽球（幼若な血液細胞）の割合、染色体分析結果、血液検査所見の点数を合計することで決定される。検査結果から、平均余命、疾患の進行あるいは急性骨髄性白血病へ進行する確率など、患者の危険度が分類

される。低リスク群、中間リスク-1群、中間リスク-2群、高リスク群の4群に分類され、低リスクMDSは低リスク群及び中間リスク-1群、高リスクMDSは高リスク群及び中間リスク-2群を指す。

リゴセルチブはオンコノバ社から導入、同社は日韓における開発権及び販売権を有する

2011年7月、同社はオンコノバ社による米国における第II相臨床試験終了時に、契約一時金約800百万円（SR社推定）で、同剤の注射剤、経口剤に関する日本及び韓国における独占の開発権及び販売権を取得した。

なお、リゴセルチブが有望な候補薬であることを示す証左として、2012年9月、バクスター社は、リゴセルチブの欧州市場における独占の開発・販売権をオンコノバ社から取得した。権利料は一時金50百万ドル、マイルストーン支払い等を含め総額565百万ドルであった。

リゴセルチブの開発状況

同社は、2019年2月現在、再発・難治性の高リスクMDSを適応症とした注射剤、高リスクMDSを適応症とする経口剤の開発を進めている。

リゴセルチブ（注射剤）については、オンコノバ社が2015年8月から、標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない（HMA不応）または治療後に再発した高リスクMDS患者を対象として国際共同第III相臨床試験（全世界から20カ国以上が参加）を行っている。国内では、同社が2015年12月から、オンコノバ社が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を行っている。

リゴセルチブ（経口剤）については、高リスクMDS（アザシチジン併用）を対象とした第I相臨床試験を2015年12月に開始した。しかし、オンコノバ社からの治験薬の供給に遅延が生じていた。治験薬の供給が再開されたことにより、2017年6月にリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために国内第I相臨床試験を新たに開始した。同試験で安全性を確認した後、アザシチジンとの併用試験を再開し、オンコノバ社が実施を計画している高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第III相試験に参加する予定である。

リゴセルチブの適応症における対象患者数と開発状況

		低リスクMDS 初回治療	高リスクMDS 初回治療	再発・難治性
注射剤	対象患者数	/	/	対象患者数：3,200人
	承認取得目的			2019年12月期
	開発状況			国際共同第III相試験
経口剤	対象患者数	対象患者数：7,800人	対象患者数：3,200人	/
	承認取得目的	未定	未定	
	開発状況	米国第II相臨床試験中	米国第II相臨床試験中 国内第I相臨床試験	

出所：会社資料よりSR社作成

リゴセルチブ注射剤（再発・難治性の高リスクMDSを対象とする）

高リスクMDSは、IPSSで高リスク群の全例および中間リスク-2群からなり、血球減少や白血病へ移行するリスクが高い。患者の年齢、状態、ドナーとのヒト白血球抗原（HLA：Human Leukocyte Antigen：ヒト白血球抗原）適合性を勘案し、同種造血幹細胞移植が可能であれば実施する。欧米ではアザシチジン及びデシタピンが標準治療薬とされており、日本に

においても同種造血幹細胞移植が実施されない例に対してはアザシチジンが試される（アザシチジンに関しては「マーケット概略」の項参照）。

高リスクMDS群の中には、標準治療薬（アザシチジン及びデシタピン）に治療抵抗性を示す、または治療後再発する傾向がある。リゴセルチブで最も開発が進んでいるのは、そのような再発・難治性の高リスクMDSを適応症とするものである。なお、2019年2月現在、再発・難治性高のリスクMDSで承認されている治療薬は無い。

研究開発状況：低メチル化剤治療後に再発した高リスクMDSの患者を対象として第III相国際共同試験を実施中

オンコノバ社は、標準治療薬に治療抵抗性を示した、または治療後再発したMDS患者を対象とした米国第III相臨床試験（注射剤）を2014年2月に終了した。

当該第III相臨床試験は、再発・難治性の高リスクMDS患者を対象として、リゴセルチブ投与群と対照（BSC：Best Supportive Care、最善の支持療法）群とで有効性・安全性を比較する目的で実施した。全登録患者299名のうち、199名はリゴセルチブ投与群、100名は対照（BSC）群であった。その結果、主要評価項目の全生存期間（OS）について、リゴセルチブ投与群が8.2ヵ月、対照（BSC）群は5.8ヵ月であった。しかし、P値は0.27と統計学的に有意差は見られなかった。

一方、部分集団解析の結果、前治療中に病勢の進行した患者または不応の患者（低メチル化剤による初回治療に反応しない患者、299人中184人、62%）では、リゴセルチブ投与群の全生存期間（OS）が8.5ヵ月、対照（BSC）群は同4.7ヵ月であり、P値は0.022と統計学的有意差が見られた。また、通常の抗がん剤の血液毒性は60%程度であるのに対し、リゴセルチブのグレード3以上の血液毒性は7%以下、非血液毒性3%以下で、安全性が確認された。

2015年8月、オンコノバ社は同剤の同適応症に関する今後の開発方針に関して、米国食品医薬品局（FDA：Food and Drug Administration、以下FDAとする）及びイギリス、ドイツ、オーストリア各当局に対して、低メチル化剤による治療において効果が得られない（HMA不応）または治療後に再発した高リスクMDS患者を対象として、第III相比較試験（国際共同試験）の実施計画書を提出し、第III相国際共同試験を開始した。

国内では同社が国際共同第III相試験の日本における臨床試験を実施

国内では、同社はオンコノバ社とFDA及びEMAとの協議結果、及び当該結果を受けたオンコノバ社の開発方針を踏まえ、2015年12月から、オンコノバ社が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を行っている。2016年7月に最初の患者登録を行い、目標症例数25～30例に対して、2018年12月末時点で40症例が登録した。オンコノバ社は、2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、事前に計画した統計学的な基準に基づき症例数を従来の225症例から360症例に増加の上で当該試験を継続することを決定している。同社は症例数を50症例まで増加させ、引き続き同試験を進める方針である。

リゴセルチブ経口剤（高リスクMDSを対象とする）

研究開発状況：第I/II相臨床試験が進行中

リゴセルチブのライセンサーであるオンコノバ社は、2016年12月に第58回米国血液学会議年次総会において、高リスクMDS患者を対象としたリゴセルチブ（経口剤）の第II相臨床試験の成績について発表した。

オンコノバ社は、「骨髓異形成症候群患者に対するリゴセルチブ経口剤とアザシチジン注射剤の併用：第II相臨床試験の結果」と題するポスター・プレゼンテーションにおいて、同併用投与の有効性と安全性に関する33症例（低メチル化剤未投与20例、低メチル化剤不応13例）のデータ解析結果を発表した。低メチル化剤未投与例は高い完全寛解率を示し

(35%)、完全寛解の平均期間は8カ月間となり（アザシチジン単剤の場合、3.2カ月間）、アザシチジン単剤と比べ治療に対する反応が迅速に得られ、かつ持続的な完全寛解の治療効果が得られたことが報告された。

2019年2月現在、初回治療の高リスクMDSを対象としたリゴセルチブ経口剤とアザシチジン併用による国際共同第III相臨床試験の計画がオンコノバ社により進められている。

国内では第I相臨床試験を実施

同社は、高リスクMDSを適応症とするリゴセルチブ（経口剤）（アザシチジン併用）の安全性を確認するための第I相試験を2016年12月期に開始した。しかし、オンコノバ社からの治験薬の供給に遅延が生じており、症例登録が開始されていなかった。2017年6月に治験薬の供給が再開されたことにより、オンコノバ社が米国で実施している初回治療及び再発・難治性の高リスクMDSを対象とした第II相臨床試験において追加設定された高用量の安全性を確認するために国内第I相臨床試験を新たに開始した。同社は、同試験で安全性を確認した後、アザシチジンとの併用試験を再開し、オンコノバ社が実施を計画している国際共同第III相試験に参加する予定である。

患者数・推定売上

同社によれば、国内における低リスクMDSの国内における患者数は7,800人、高リスクMDSは同3,200人と推測されるという。

現在、日本新薬株式会社（東証1部 4516、以下、日本新薬社とする）が、MDS治療薬アザシチジン（商品名：ビダーザ®）を国内で販売している。日本新薬社の資料によれば、2018年3月期におけるビダーザ®の売上高は15,643百万円（前期比11.1%増）であった。2019年3月期は同13,600百万円を予想している。SR社では、リゴセルチブ注射剤とリゴセルチブ経口剤が上市に至った場合には、ビダーザ®が使用されていない患者やビダーザ®と同剤との併用による治療を行う患者等への使用拡大が予想され、ビダーザ®と同等程度、またはそれ以上の売上となる可能性があると考えられる。

収益構造

(百万円)	09年12月期	10年12月期	11年12月期	12年12月期	13年12月期	14年12月期	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期
売上高	1,191	1,450	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836
前年比	-26.9%	21.7%	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%
製品売上高	-	326	1,632	1,955	1,432	1,940	1,933	2,137	3,444	3,810
前年比	-	-	401.3%	19.8%	-26.8%	35.5%	-0.3%	10.6%	61.1%	10.6%
トリアキシン薬価ベース売上 (参考値)	-	644	3,390	3,940	4,230	4,320	4,760	4,720	7,600	8,500
製品売上高/薬価ベース売上	-	50.6%	48.2%	49.6%	33.9%	44.9%	40.6%	45.3%	45.3%	44.8%
権利収入	1,191	1,124	250	-	100	15	-	231	-	26
イーザイ社向け売上高	1,085	1,446	1,872	1,930	1,486	1,908	1,852	2,265	3,382	3,648
前年比	-32.2%	33.2%	29.5%	3.1%	-23.0%	28.4%	-2.9%	22.3%	49.4%	7.9%
イーザイ社以外向け売上高	106	4	10	26	46	47	81	104	62	187
売上原価	-	238	1,224	1,362	1,214	1,428	1,350	1,464	2,413	2,663
原価率 (売上原価/製品売上高)	-	73.1%	75.0%	69.7%	84.8%	73.6%	69.8%	68.5%	70.1%	69.9%
原価率 (売上原価/薬価ベース売上)	-	37.0%	36.1%	34.6%	28.7%	33.1%	28.4%	31.0%	31.7%	31.3%
製品仕入	-	238	1,434	1,322	1,175	1,550	1,242	1,606	2,589	2,969
売上総利益	1,191	1,212	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173
製品売上総利益	0	87	408	593	218	512	583	673	1,031	1,147
売上総利益率	-	27%	25%	30%	15%	26%	30%	32%	30%	30%
権利収入	1,191	1,124	250	-	100	15	-	231	-	26
販売費及び一般管理費	1,399	1,825	2,725	2,293	1,999	1,830	3,135	3,031	4,978	3,829
人件費	323	343	365	413	441	479	488	541	554	504
研究開発費	817	1,118	1,945	1,438	1,053	774	2,035	1,667	3,018	1,833
その他	259	364	415	442	505	577	612	823	1,406	1,492
営業利益	-208	-613	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656

出所：会社資料よりSR社作成

売上高

同社の売上高は、製品売上高と権利収入で構成される。上表の通り、同社の売上高のほとんどは、イーザイを相手先とする売上高である。

製品売上高

製品売上高は、医薬品の売上高である。同社は2010年10月にトリアキシン®の承認を取得し、2010年12月期から販売を開始、損益計算書には2010年12月期から製品売上高を計上している。2016年12月期までは主に再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症とするトリアキシン®の売上高が計上されている。

2017年12月期には、2016年12月に追加承認を取得した未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症とするトリアキシン®の売上高が加わり、2016年12月期比で大幅な増加となっている。

権利収入

権利収入は、契約一時金収入、マイルストーン収入等が計上される。2008年8月にトリアキシン®の独占販売権をイーザイに許諾したことにより、契約一時金、開発段階に応じたマイルストーン収入が計上されている。

売上原価

売上原価は、薬剤の仕入原価である。同社はアステラス ドイツランド社より、トリアキシン®を仕入れている。仕入価格は同社からイーザイへの卸値の70%程度である。

仕入価格はイーザイの売上高に一定料率を乗じた金額を、特定日の為替レートでユーロに換算し、一定期間経過後に当該取引金額をユーロでアステラス ドイツランド社に支払う。よって、仕入価格確定日と支払日の期間のユーロ/円為替レート変動の影響を受ける。それに対し、同社は為替リスクを回避するため、仕入金額に対する為替予約を行っており、営業外損益で為替差損益が発生する。

販売費及び一般管理費

販売費及び一般管理費は人件費、研究開発費が主な費用項目である。

人件費

人件費は、役員、マーケティング、導入候補品探索、一般管理などの人員に対する費用であり、パイプラインの増加と事業の拡大に伴う人員数の増加によって、緩やかに増加している。

研究開発費

研究開発費は、研究開発人員に対する人件費、臨床試験に係る外注費用、導入候補品の契約一時金などである。臨床試験の進捗状況、新規開発候補品の導入などにより変動する。同社によれば、1品目当たりの候補品導入費用は500～1,000百万円であり、国内における臨床試験費用は1,000～2,000百万円である。

トリアキシン®（凍結乾燥注射剤）の開発費に関しては、エーザイが半額を負担することとなり、研究開発費総額からエーザイの研究開発負担金を減額した金額を損益計算書に計上している。

SW (Strengths, Weaknesses) 分析

SR社では、同社の強み (Strengths) ・弱み (Weaknesses) について、以下のように考える。

強み (Strengths)

- 承認取得確率の高い候補品を探索・評価・導入する力：同社の開発候補品導入は、社内の探索・評価チームによる1次スクリーニング、企業への訪問、医薬品の専門家による検討会議（科学的諮問会議：SAB）を経て決定される。特に、同社のSABは、創業社長の吉田氏が、日本アムジェン社長、米国アムジェン社本社副社長時代に築き上げた人的ネットワークによって、各方面の専門家が参画しており、他社に対する差別化要素となっている。実際に、同社はこのような探索・評価力により、優れた開発候補品の導入実績を上げている。
- 短時間で製品化（上市）する開発力：同社の開発第1号品である抗がん剤トリアキシン®については、導入後5年という早期での承認取得と販売開始を実現し、2010年12月の国内販売開始から約3年半で、再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫の領域においては、エッセンシャル・ドラッグ（標準薬）となっている。このトリアキシン®に関する実績は、同社の開発力の高さを示しているといえよう。
- 「空白の治療領域」におけるシェアの獲得力：同社は、医療ニーズは高いものの、患者数が相対的に少ないとの理由から手つかずとなっている「空白の治療領域」へ積極的に取り組んでいる。また、同社は、がん・血液・ペインマネジメントの治療領域の開発に特化している。実際に、トリアキシン®は、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得するに至っており、「空白の治療領域」において高いシェアを獲得した実績を有する。

弱み (Weaknesses)

- 営業・販売組織：同社は、現在、自前の営業・販売組織を持たないため、抗がん剤トリアキシン®は、業務提携先のエーザイを通じて販売されている。2020年12月まではトリアキシン®の国内販売はエーザイが担うこととなっている。しかし、2020年12月期にはエーザイとの販売契約が終了し、自社販売に移行する予定であり、これによる利益率の改善を見込んでいる。
- 資金調達力：他のバイオベンチャーと同様に、開発品を製品化（上市）させ、十分な採算性を確保するまでには、長期間にわたり膨大な先行投資が必要となる。このような先行投資の必要性は同業他社も同様に抱える問題である。同社の場合には、2018年12月期末の現金及び預金と短期有価証券の合計額は4,821百万円であるのに対し、中期経営計画期間（2019年12月期～2022年12月期）前半2年間の純損失合計額は8,844百万円と予想している。同社は2018年4月に第45回乃至第47回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行（コミット・イシュー・プログラム）および無担保融資ファシリティ契約の締結によって、資金調達を進める計画である。しかし、何らかの理由により、計画通りに資金調達が困難となった場合には、同社の事業運営に影響を及ぼす可能性がある。
- 特定人物への依存：同社の代表取締役社長の吉田文紀氏は、創業者であり、創業当時より経営全般にわたる事業の推進者として中心的な役割を担っている。また、小規模組織であり、少人数の開発体制としている。何らかの理由により、重要な役割を担う人物の業務の遂行が困難となった場合には、同社の事業運営に影響を及ぼす可能性がある。

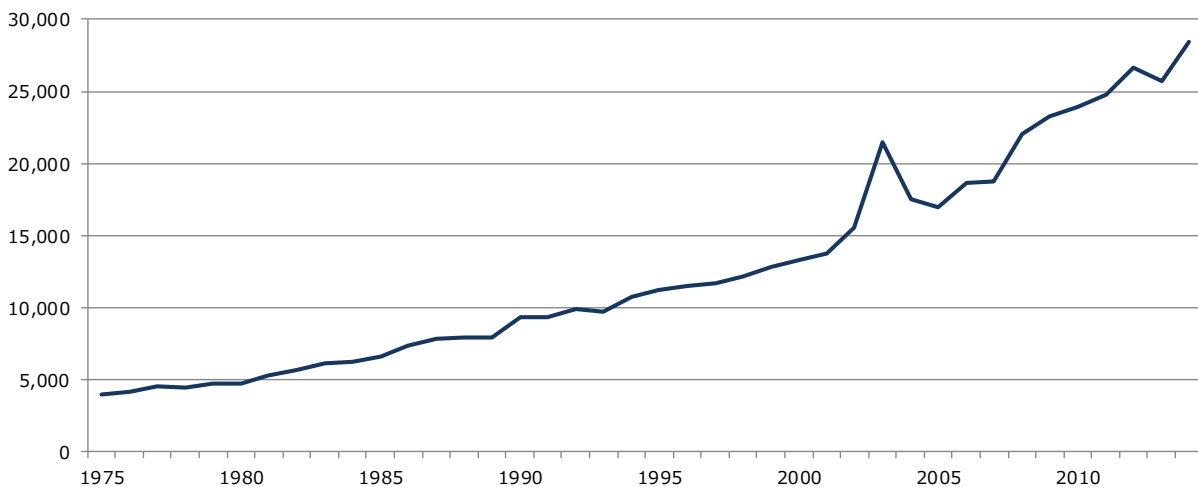
マーケット概略

悪性リンパ腫の患者数、市場規模、治療薬

悪性リンパ腫の罹患数

国立がん研究センターがん対策情報センター「地域がん登録全国推計値」の罹患データによれば、国内における2014年の悪性リンパ腫の罹患数（一定の期間に新たにがんと診断された数）は28,486人（前年比10.6%増、過去10年の年平均増加率5.0%）であった。そのうち、60歳以上の高齢者が22,557人（前年比11.0%増）と全罹患数の79.2%（前年は78.9%）を占めた。全部位のがん罹患数876,713人（前年比1.7%増）のなかに占める悪性リンパ腫罹患数の比率は3.2%（前年は3.0%）に留まるが、高齢者の人口増加により増加傾向にあり、患者数は2004年から2014年の間に62.8%増加し、同期間における全部位罹患数の増加率40.7%を上回った。

悪性リンパ腫の罹患数推移



悪性リンパ腫の罹患数推移	1975年	1980年	1985年	1990年	1995年	2000年	2005年	2010年
罹患数（人）	4,013	4,741	6,635	9,297	11,195	13,307	16,991	23,919
罹患率（人、対人口10万人）	3.6	4.1	5.5	7.5	8.9	10.5	13.3	18.7

出所：国立がん研究センターがん対策情報センターのデータをもとにSR社作成

抗がん剤市場は拡大が予想される

富士経済研究所によれば、2016年の国内の抗がん剤市場規模は1兆646億円（前年比12.2%増）であった。新製品の発売や適応の拡大によって市場は拡大を続け、2025年には1兆4,367億円に拡大すると予想されている。

トレアキシン®の対象患者数および市場

国内で販売している再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫・マントル細胞リンパ腫の患者数は9,336人、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫の患者数は6,967人（同社推計）である。2018年12月期の売上高（薬価ベース）は8,500百万円（2017年12月期は7,600百万円）であった。

その他、適応症追加へ向けた検討を進めている再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫の患者数は18,672人（同社推計）である。

トレアキシンの適応症及び患者数

適応症	患者数 (人)	進捗	備考
再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫 再発・難治性マントル細胞リンパ腫	9,336	承認取得済	売上8,500百万円 (2018年12月期)
未治療低悪性度非ホジキンリンパ腫 未治療マントル細胞リンパ腫	6,967	承認取得済	
慢性リンパ性白血病	656	承認取得済	
再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫	18,672	臨床試験実施中	-

出所：会社資料よりSR社作成
*売上高は薬価ベース

トレアキシンの競合薬

トレアキシンの競合薬としては、リツキシマブ、イブリツモマブチウキセタンがあげられる。

リツキシマブ (商品名：リツキサン®)

米国のアイデック社 (米国、IDEC Pharmaceuticals, Corp.、現Biogen Idec, Inc.) とジェネンテック社 (米国、Genentech, inc.) により共同開発され、悪性リンパ腫治療薬としては世界初のモノクローナル抗体として、1997年11月に米国で承認された。マウスの抗体の一部とヒトの抗体であるIgGで構成されている。ヒトB細胞表面に発現するCD20抗原に結合し、補体依存性細胞傷害作用、抗体依存性細胞介在性細胞傷害作用により、抗腫瘍効果を示す (出所：中外製薬社、全薬工業株式会社資料よりSR社)。

日本国内において、2001年9月より全薬工業株式会社と中外製薬社が共同販売している。中外製薬社における2018年12月期におけるリツキサン®の売上高は213億円 (前期比36.2%減) であった。

イブリツモマブチウキセタン (商品名：ゼヴァリン®)

リツキサン®と同様にB細胞のCD20分子をターゲットにした抗体製剤である。抗体と放射性元素を結合させ、標的となったB細胞に細胞単位で放射線を照射する。放射性元素を扱うことから、放射線を扱える限られた医療機関でしか治療を受けられない。

難治性の悪性リンパ腫 (低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫) の治療薬として、2008年1月に国内で承認され、2008年8月に発売。日本では富士フイルムRIファーマ株式会社 (富士フイルム株式会社 (東証1部 4901) の子会社) が販売している。

骨髄異形成症候群 (MDS) の患者数、治療薬
MDSの推定患者数は11,000人

骨髄異形成症候群は60歳以上の高齢者に高率で認められる疾患である。日本における正確なデータはないが、厚生労働省の調査において、総患者数は2008年で9,000人、死亡数は2008年で2,781人であった。

人口の高齢化に伴い患者数が増加し、同社によれば、2014年現在の日本におけるMDS患者数は11,000人程度と推定されるという。患者数が増加しているにもかかわらず、これまでこれといった治療法がなかった。

リコセルチブの適応症及び患者数

適応症	患者数
低リスクMDS	7,800
高リスクMDS	3,200

出所：会社資料よりSR社作成

リゴセルチブの競合薬

同社によれば、2018年2月現在、日本においてMDSを主たる適応症として承認されている注射剤は、日本新薬社のビダーザ®のみである。

アザシチジン（商品名：ビダーザ®）

米国ファーマイオン社（現セルジーン社）が開発した中間リスク群や高リスク群のMDSに対する治療薬である。国内においては、日本新薬株式会社（東証1部 4516、以下、日本新薬社とする）が2006年にファーマイオン社と導入ライセンス契約を締結。国内で臨床開発試験を実施し、2011年1月に製造販売承認を取得した。

MDS患者由来のがん細胞に対する殺細胞効果に加え、DNAメチル化阻害作用も併せ持っている。主な副作用である白血球減少や血小板減少などの骨髄抑制に対応しつつ、3～6ヵ月治療を続けているうちに効果が見られてくるようになる。

日本新薬社によれば、ビダーザ®は全てのタイプのMDSに適応があり、有効性が期待されるが、高リスクMDSで予後を改善することが証明されているのは、世界でも同剤のみであるという。日本新薬社の資料によれば、2018年3月期におけるビダーザ®の売上高は15,643百万円（前期比11.1%増）であった。2019年3月期は同13,600百万円を予想している。

過去の業績

2019年12月期第1四半期実績

- ▷ 売上高：1,611百万円（前年同期比81.4%増）
- ▷ 営業損失：596百万円（前年同期は715百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：616百万円（前年同期は749百万円の経常損失）
- ▷ 当期純損失：617百万円（前年同期は760百万円の当期純損失）

売上高は、トレアキシン®の国内向け製品販売等により増収となった。薬価ベースの売上が前年同期比11.0%となったことなどによる。

増収によって売上総利益は609百万円（前年同期比144.0%増）、売上総利益率は前年同期比で9.7ポイント上昇の37.8%となった。

一方、販売費及び一般管理費は、1,205百万円（前年同期比25.0%増）となった。研究開発費は472百万円（同13.4%増）となった。トレアキシン®の注射剤及び経口剤、リゴセルチブの注射剤及び経口剤の臨床試験費用が発生した。また、研究開発費を除く販売費及び一般管理費は733百万円（同33.8%増）となった。自社販売体制構築に向け、トレアキシンマネージャーを増員したことから増加した。

これらの結果、営業損失、経常損失、当期純損失の損失額は前年同期比で縮小した。

2019年12月期第1四半期における主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 2019年4月、トレアキシン®液剤（急速静注製剤「RI製剤」）について、安全性の確認を主目的とした治験において、最初の患者登録を完了した。
- ▷ 2019年4月、抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とした第III相臨床試験における症例登録が完了した。登録症例のフォローアップ期間終了後、有効性および安全性を統計解析し、再発・難治性DLBCLを追加適応症として、2020年12月期第2四半期中の承認申請を目指す。
- ▷ 2019年3月、抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」に関し、腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更の承認を取得した。トレアキシン®が、キメラ抗原受容体T細胞（CAR-T細胞）療法「キムリア®点滴静注」（以下、キムリア®）の前処置として使用されることが可能となる。

国内

自社販売体制の準備について

同社は、販売委託先であるエーザイ株式会社（以下「エーザイ」）との事業提携契約が2020年12月に満了となることから、2018年10月にトレアキシン®の国内販売について自社による販売体制構築の準備を開始した。最重要経営課題である2021年12月期の黒字化とその後の収益の持続的拡大を図るべく、今後の事業展開を自社販売体制への移行により盤石なものとすることを計画している。

20名のトレアキシンマネージャーを自社販売体制における営業組織の中核と位置づけており、当第1四半期末までに必要な増員のための採用活動を計画通りに進めた。また、物流・流通・情報システムといったインフラの整備を開始した。

抗がん剤SyB L-0501（凍結乾燥注射剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI製剤）/SyB C-0501（経口剤）（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トレアキシン®）

抗がん剤トレアキシン®については、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2016年12月に製造販売承認を取得）、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2010年10月に製造販売承認を取得）、慢性リンパ性白血病（CLL）（2016年8月に製造販売承認を取得）を適応症として、業務提携先のエーザイを通じ、国内販売を行っている。

これらの適応症拡大を受けて、既に医療現場においては未治療（初回治療）領域でトレアキシン®が従来の標準療法であるR-CHOPに取って代わることで市場浸透が堅調に進んでいる中で、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドラインにトレアキシン®とリツキシマブの併用療法（BR療法）が新たに収載され、既承認のすべての適応症において、標準的治療の選択肢として推奨されることになった。これにより悪性リンパ腫における標準療法としてのトレアキシン®の位置づけが確立されつつある。薬価ベースの売上は前年同期比11.0%と伸長した。

同剤については、既に承認を取得した上記の3つの適応症に加え、4つ目の適応症である再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）の第III相臨床試験を実施中で承認取得に向けて順調に進捗している。医療ニーズが高いことを受けて、2017年8月に第III相臨床試験を開始し、2018年1月の最初の患者登録以来着実に症例集積を推し進め、2019年4月に症例登録を完了した。今後、登録症例のフォローアップ期間が終了した後、承認申請へ向けて準備を進める。

以上の追加適応症の取組みに加え、トレアキシン®の製品ライフサイクル・マネジメントを一層推進すべく、2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社：米国ニュージャージー州）との間でトレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結した。これにより患者と医療従事者の負担を軽減することで大きな付加価値を提供し、液剤ライセンスによる特許保護を通じてトレアキシン®の製品寿命を2031年まで延長することが可能となった。トレアキシン®液剤については既にRTD製剤については医薬品医療機器総合機構との相談を経て承認申請に向けて準備中である。RI製剤については2018年11月に安全性の確認を主目的とした治験を開始し、2019年4月に最初の患者登録を完了した。

また、2018年7月には製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得したことにより、低悪性度NHLの代表的な組織型であるCD20陽性の濾胞性リンパ腫（FL）に対して、リツキシマブのみならず、新規の抗CD20抗体製剤との併用が可能となった。そのうちのひとつである2018年8月に販売開始されたオビヌツズマブとの併用療法が可能となり、患者に新たな治療選択肢を提供できるようになった。また、2019年3月に腫瘍特異性T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更の承認を取得したことにより、同月に承認された国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法「キムリア®点滴静注」の発売後にはトレアキシン®が前処置として使用されることが可能となった。

さらに、経営基盤の強化のため、トレアキシン®を同社事業のより強固な土台とすべく、現在開発・販売中の注射剤に加えて経口剤の開発を推進する。2018年1月に進行性固形がんを対象としてトレアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞り込むことを目的として、第I相臨床試験を開始し、2018年5月に最初の患者登録後、症例集積を進めている。また、トレアキシン®の経口投与による免疫系への作用を評価すべく、自己免疫疾患の一種である全身性エリテマトーデス（SLE）に対する治療効果の確認を目的とする前臨床試験を実施するため、2018年5月に慶應義塾大学との間で共同研究契約を締結し試験に着手している。

抗がん剤SyB L-1101（注射剤）/SyB C-1101（経口剤）（一般名：Rigosertib Sodium（リゴセルチブナトリウム））

リゴセルチブ注射剤については、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、オンコノバ社）が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を2015年12月に同社が開始し、2019年5月時点で43症例が登録された。当該国際共同第III相試験は、現在の標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない、治療後に再発し

たまたは低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髄異形成症候群（高リスクMDS）を対象とし、全世界から20カ国以上が参加して実施している。2019年3月時点で全世界における目標の360症例数に対して75%の登録を達成している。この試験の成績を基に、欧米と同時期に日本での承認申請を欧米と同時期に行うことを計画している。

リゴセルチブ経口剤については、オンコノバ社が米国において初回治療の高リスクMDSを目標効能とする第I/II相臨床試験（アザシチジン併用）を完了し、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とする第II相臨床試験を進めている。同社はリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために2017年6月に国内第I相臨床試験を開始し、2017年10月の最初の患者登録後、試験が順調に進んでいる。同試験終了後、アザシチジンとの併用の第I相試験を実施し、リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うべく、現在オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第III相臨床試験に参加する予定である。同国際共同試験については2018年12月にオンコノバ社が承認審査の迅速化を目的としてSPA（特別プロトコル審査）をFDA（米国食品医薬品局）に申請しており、2019年上半年に協議の結論が出ることを想定している。また、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とした開発については、オンコノバ社の開発状況を見据えながら日本からの参加を検討している。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

2015年10月に、ザ・メディシNZ・カンパニー社（契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社）から導入したSyB P-1501については事業継続性について、同社が懸念を抱く事実が生じたため、患者の利益を最優先する観点から、2017年4月より新規症例登録を一時的に中断し、2017年11月にライセンス契約を解除。2018年2月に同製品の開発は中止した。

2017年10月にザ・メディシNZ・カンパニー社によるライセンス契約の不履行に起因して生じた損害の賠償として、82百万米ドル（日本円換算で約90億円）の支払を求める仲裁を国際商業会議所の規定に基づき2017年10月に申し立てた。ザ・メディシNZ・カンパニー社との仲裁手続は現在も継続中である。

新規開発候補品

長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るために、新薬開発候補品のグローバルライセンス権利取得に向け、探索評価を継続して実施しており、複数のライセンス案件を検討中である。また、2016年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として100%出資の米国子会社SymBio Pharma USA, Incを設立した。同社は、当該子会社を活用し、新薬候補品の全世界における権利を積極的に取得し、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を行うことで、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めるとしている。

海外

SyB L-0501については、韓国、台湾、シンガポールにおいても販売されており、同社の製品売上は計画通り順調に推移した。

2018年12月期通期実績

- ▷ 売上高：3,836百万円（前期比11.4%増）
- ▷ 営業損失：2,656百万円（前期は3,947百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：2,749百万円（前期は3,977百万円の経常損失）
- ▷ 当期純損失：2,753百万円（前期は3,978百万円の当期純損失）

売上高はトリアキシン®の国内向け製品販売等により製品売上高が3,810百万円（前期比10.6%増）となり、増収となった。

増収によって売上総利益は1,173百万円（前期比13.7%増）となった。売上総利益率は前年同期比で0.7ポイント上昇の30.6%となった。

販売費及び一般管理費は3,829百万円（前期比23.1%減）となった。研究開発費は1,833百万円（同39.3%減）となった。トリアキシン®の注射剤及び経口剤、リゴセルチブの注射剤及び経口剤の臨床試験費用が発生したが、前期はトリアキシン®液剤（RTD製剤及びRI製剤）の導入費用1,393百万円を計上したことから、前期比では減少した。また、研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,996百万円（同1.8%増）となった。

これらの結果、営業損失、経常損失、当期純損失の損失額は前期比で縮小した。

売上高実績は、通期会社予想の売上高4,201百万円を下回った。2018年12月期会社予想では薬価ベースの売上高10,100百万円（前期比32.9%増）を見込んでいたが、薬価ベースの売上高実績が8,500百万円となったこの要因は次の2点である。

- ▷ トリアキシン®の販売委託先であるエーザイが自社製品の販売に注力する方針となった。この対策として、同社は2018年12月期中に専門性の高い医薬情報担当者（トリアキシンマネージャー）を10名（2017年12月時点では5名）の体制とした。
- ▷ 2018年12月にアステラス ドイツランド GmbHから輸入したトリアキシン®25mg製剤において外観不良が認められ、25mg製剤の輸入及び国内出荷を一時的に停止した

2018年12月期における主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 抗がん剤トリアキシン®について、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL））の第III相臨床試験を開始し、2018年1月に最初の患者登録を完了した。登録予定患者数60症例に対して、2019年2月6日現在の登録患者数は35例となった。
- ▷ 2018年7月にトリアキシン®の製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得した。これにより、低悪性度非ホジキンリンパ腫に対して、リツキシマブのみならず、オビヌツズマブ発売後には同剤との併用療法が可能となった。
- ▷ 2018年7月に医療従事者向け診療ガイドライン2018年版の改訂において抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」が標準療法として新たに記載された。
- ▷ 2018年4月、同社は今後3年間（2018年から2020年）に必要な資金を確保するため、第45回乃至第47回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行（コミット・イシュー・プログラム）による差引手取額10,413百万円の資金調達を発表した。調達資金の用途については2018年4月から2020年12月までに導入済パイプラインの開発（4,700百万円）、自社販売体制の構築（3,300百万円）などである。第45回新株予約権は2018年10月までに全新株予約権の権利行使（20百万個、20百万株）が完了し、2,580百万円（差引手取額概算）を調達した。
- ▷ 2018年9月、トリアキシン®に関し、新たな効能効果として、再生医療等製品の前処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2018年10月、トリアキシン®の自社販売に向けた準備開始について発表した。2008年にエーザイ株式会社との間で締結したトリアキシン®の事業提携契約が2020年12月に満了となる。その後のトリアキシン®の国内販売について、同社は自社による販売体制構築の準備を開始した。2021年12月期に向けて、血液疾患領域に特化した専門性の高い営業体制を構築し、トリアキシン®に加えて現在開発中の骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたリゴセルチブ（注射剤及び経口剤）の販売を行う。
- ▷ 2018年11月、トリアキシン®液剤（急速静注製剤「RI製剤」：点滴投与時間10分間）について、安全性の確認を主目的とした治験を開始した。当該試験の症例数は36例で、RI製剤は当該試験終了後に承認申請を行い、2022年の発売を予定している。

国内

自社販売体制の準備開始について

同社は2018年10月にトリアキシン®の国内販売について自社による販売体制構築の準備を開始したことを発表した。2008年8月にエーザイ株式会社（以下「エーザイ」）と締結した事業提携契約の満了が2020年12月に控えており、それ以降の事業展開において他社との事業提携を含めたあらゆる選択肢を検討したが、患者の利益及び事業価値の最大化をより高い次元で実現するには自社販売体制への移行が最善であるとの結論に至った。2021年初の自社販売体制への移行に向けて、組織体制および人材を検討し、システム構築と物流・流通インフラ整備についても投資計画を策定し、実行することで、高品質の情報提供活動と製品供給体制を実現する。それにより2021年度の黒字化とその後の収益の持続的拡大を目指している。

抗がん剤SyB L-0501（凍結乾燥注射剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI製剤）/SyB C-0501（経口剤）（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トリアキシン®）

抗がん剤トリアキシン®については、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2016年12月に製造販売承認を取得）、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2010年10月に製造販売承認を取得）、慢性リンパ性白血病（CLL）（2016年8月に製造販売承認を取得）を適応症として、業務提携先のエーザイを通じ、国内販売を行っている。

これらの適応症拡大を受けて、既に医療現場においては未治療（初回治療）領域でトリアキシン®が従来の標準療法であるR-CHOPIに取って代わることで市場浸透が堅調に進んでいる中で、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドラインにトリアキシン®とリツキシマブの併用療法（BR療法）が新たに記載され、標準的治療の選択肢として推奨されることになった。これにより悪性リンパ腫における標準療法としてのトリアキシン®の位置づけが確立されつつある。薬価ベースの売上は前年同期比11.6%と伸長した。

同剤については、既に承認を取得した上記の3つの適応症に加え、4つ目の適応症である再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）の第III相臨床試験を開始し承認取得に向けて症例登録に取り組んでいる。医療ニーズが高いことを受けて、2017年8月に第III相臨床試験を開始し、2018年1月に最初の患者登録を完了し、症例集積を進めている。

以上の追加適応症の取組みに加え、トリアキシン®の製品ライフサイクル・マネジメントを一層推進すべく、2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社：米国ニュージャージー州）との間でトリアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結した。これにより患者と医療従事者の負担を軽減することで大きな付加価値を提供し、特許保護を通じてトリアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能となった。トリアキシン®液剤については既にRTD製剤については医薬品医療機器総合機構との相談を経て承認申請を準備中である。RI製剤については2018年11月に安全性の確認を主目的とした治験を開始した。

また、2018年7月にはトリアキシン®の製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得したことにより、低悪性度NHLの代表的な組織型であるCD20陽性の濾胞性リンパ腫（FL）に対して、従来のリツキシマブのみならず、2018年8月に販売開始されたオビヌツマブとの併用療法が可能となり、患者に新たな治療選択肢を提供することができるようになった。さらに、同社によれば、2018年7月現在、欧米において悪性リンパ腫を適応症として、100件近くのBR併用またはベンダムスチン単剤との併用の医薬品の開発が進行中であるという（第III相臨床試験が20件、第II相臨床試験が67件、第I相臨床試験が6件）。また、免疫チェックポイント阻害剤とBR併用またはベンダムスチン単剤との併用の治療の開発も進行している。これらの療法が承認を取得すれば、同社が開発費を投じることなくトリアキシン®の浸透が進み、認知度向上が期待できるという。加えて、2018年9月には新たな効能効果として、再生医療等製品の前処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

さらに、経営基盤の強化のため、トレアキシ[®]を同社事業のより強固な土台とすべく、現在開発・販売中の注射剤に加えて経口剤の開発を推進する。2018年1月に進行性固形がんを対象としてトレアキシ[®]経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞り込むことを目的として、第I相臨床試験を開始し、2018年5月に最初の患者登録後、症例集積を進めている。また、トレアキシ[®]の経口投与による免疫系への作用を評価すべく、自己免疫疾患の一種である全身性エリテマトーデス(SLE)に対する治療効果の確認を目的とする前臨床試験を実施するため、2018年5月に慶應義塾大学との間で共同研究契約を締結し試験に着手している。

抗がん剤SyB L-1101 (注射剤) / SyB C-1101 (経口剤) (一般名: Rigosertib Sodium (リゴセルチブナトリウム))
 リゴセルチブ注射剤については、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社 (以下、オンコノバ社) が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を2015年12月に同社が開始し、2018年12月末時点で40症例が登録された。当該国際共同第III相試験は、標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない、治療後に再発したまたは低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髄異形成症候群 (高リスクMDS) を対象とし、全世界から20ヵ国以上が参加して実施している。現在、症例集積が順調に進行しているが、2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、FDA (米国食品医薬品局) と事前に合意したアダプティブ・デザインにより統計学的な基準に基づき症例数を増加の上で当該試験を継続することを決定している。この成績を基に、欧米と同時期に日本での承認申請を行うことを計画している。

リゴセルチブ経口剤については、オンコノバ社が米国において初回治療の高リスクMDSを目標効能とする第I/II相臨床試験 (アザチジン併用) および輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群 (低リスクMDS) を目標効能とする第II相臨床試験を進めている。同社はリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために2017年6月に国内第I相臨床試験を開始し、現在症例集積が順調に進んでいる。同試験終了後、速やかにアザチジンとの併用試験を実施し、オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザチジンとの併用による国際共同第III相臨床試験に参加し、リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うことを計画している。また、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群 (低リスクMDS) を目標効能とした開発については、オンコノバ社の開発状況を見据えながら日本からの参加を検討している。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

2015年10月に、ザ・メディシズ・カンパニー社 (契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社) から導入したSyB P-1501については事業継続性について、同社が懸念を抱く事実が生じたため、患者の利益を最優先する観点から、2017年4月より新規症例登録を一時的に中断し、2017年11月にライセンス契約を解除。2018年2月に同製品の開発は中止した。

2017年10月にザ・メディシズ・カンパニー社によるライセンス契約の不履行に起因して生じた損害の賠償として、82百万米ドル (日本円換算で約90億円) の支払を求める仲裁を国際商業会議所の規定に基づき2017年10月に申し立てた。ザ・メディシズ・カンパニー社との仲裁手続は現在も継続中である。

新規開発候補品

中長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るために、新薬開発候補品のグローバルライセンス権利取得に向け、探索評価を継続して実施しており、複数のライセンス案件を検討中である。また、2016年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として100%出資の米国子会社SymBio Pharma USA, Incを設立した。同社は、当該子会社を活用し、新薬候補品の全世界における権利を積極的に取得し、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を行うことで、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めるとしている。

海外

SyB L-0501については、韓国、台湾、シンガポールにおいても販売されており、同社の製品売上は計画を上回る水準で推移した。

2018年12月期第3四半期実績

売上高は、トリアキシン®の国内向け製品販売等により、3,032百万円（前年同期比25.5%増）となった。

増収によって売上総利益は924百万円（前年同期比37.0%増）となった。売上総利益率は前年同期比で2.6ポイント上昇の30.5%となった。

販売費及び一般管理費は、2,832百万円（前年同期比32.3%減）となった。研究開発費は1,293百万円（同52.3%減）となった。トリアキシン®の注射剤及び経口剤、リゴセルチブの注射剤及び経口剤の臨床試験費用が発生した。また、研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,539百万円（同4.6%増）となった。

これらの結果、営業損失は1,908百万円（前年同期は営業損失3,508百万円）となった。経常損失は、株式交付費を主とする営業外費用34百万円を計上したこと等により、1,938百万円（前年同期は経常損失3,547百万円）、四半期純損失は1,941百万円（前年同期は四半期純損失3,546百万円）となった。会社予想に対しては、順調な推移となった。

2018年12月期第3四半期における事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 抗がん剤トリアキシン®について、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL））の第III相臨床試験を開始し、2018年1月に最初の患者登録を完了した。
- ▷ 進行性固形がんを対象としてトリアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞り込むことを目的として、2018年1月に第I相臨床試験を開始した。
- ▷ トリアキシン®の経口投与による免疫系への作用を評価すべく、自己免疫疾患の一種である全身性エリテマトーデス（SLE）に対する治療効果の確認を目的とする前臨床試験を実施するため、2018年5月に慶應義塾大学との間で共同研究契約を締結した。
- ▷ 2018年7月にトリアキシン®の製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得した。これにより、低悪性度非ホジキンリンパ腫に対して、リツキシマブのみならず、オビヌツズマブ発売後には同剤との併用療法が可能となる。
- ▷ 2018年7月に医療従事者向け診療ガイドライン2018年版の改訂において抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」が標準療法として新たに記載された。
- ▷ リゴセルチブ注射剤について、2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、事前に計画した統計学的な基準に基づき症例数を増加の上で当該試験を継続することを決定した。
- ▷ 自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501について、2018年2月に開発を中止した。
- ▷ 2018年4月、同社は今後3年間（2018年から2020年）に必要な資金を確保するため、第45回乃至第47回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行（コミット・イシュー・プログラム）による差引手取額10,413百万円の資金調達を発表した。調達資金の用途については2018年4月から2020年12月までに導入済パイプラインの開発（4,700百万円）、自社販売体制の構築（3,300百万円）などである。第45回新株予約権は2018年10月までに全新株予約権の権利行使が完了し、2,580百万円（差引手取額概算）を調達した。
- ▷ 2018年9月、トリアキシン®に関し、新たな効能効果として、再生医療等製品の処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2018年10月、トリアキシン®の自社販売に向けた準備開始について発表した。2008年にエーザイ株式会社との間で締結したトリアキシン®の事業提携契約が2020年12月に満了となる。その後のトリアキシン®の国内販売について、同社は自社による販売体制構築の準備を開始した。2021年12月期に向けて、血液疾患領域に特化した専門性の高い営業体制を構

築し、トレアキシン®に加えて現在開発中の骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたリゴセルチブ（注射剤及び経口剤）の販売を行う。

国内

抗がん剤SyB L-0501（凍結乾燥注射剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI製剤）/SyB C-0501（経口剤）（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トレアキシン®）

抗がん剤トレアキシン®については、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫、（2010年10月に製造販売承認を取得）に加え、2016年12月に製造販売承認を受けた未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫および2016年8月に製造販売承認を受けた慢性リンパ性白血病を適応症として、業務提携先のエーザイ株式会社（以下、エーザイ）を通じ、国内販売を行っている。

これらの適応症拡大を受けて未治療（初回治療）領域でトレアキシン®が従来の標準療法であるR-CHOPに取って代わることで市場浸透が堅調に進んでいる中で、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した造血器腫瘍診療ガイドラインにトレアキシン®とリツキシマブの併用療法（BR療法）が新たに記載され、標準的治療の選択肢として推奨されることになった。薬価ベースの売上は前年同期比15.2%と堅調に伸長し、同社からエーザイへの製品売上についても計画通りに推移した。

同剤については、既に承認を取得した上記の3つの適応症に加え、4つ目の適応症である再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の第Ⅲ相臨床試験を開始し承認取得に向けて症例登録に取り組んでいる。医療ニーズが高いことを受けて、2017年8月に第Ⅲ相臨床試験を開始し、2018年1月に最初の患者登録を完了し、症例集積を進めている。

以上の追加適応症の取組みに加え、トレアキシン®の製品ライフサイクル・マネジメントを一層推進すべく、2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社：米国ニュージャージー州）との間でトレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結した。これにより患者と医療従事者に大きな付加価値を提供し、特許保護を通じてトレアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能となった。トレアキシン®液剤については既にRTD製剤の承認申請内容およびRI製剤の臨床試験デザインに関する医薬品医療機器総合機構との相談を経て2021年以降の承認及び発売に向けて鋭意準備を進めている。

また、2018年7月には製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得したことにより、低悪性度NHLの代表的な組織型であるCD20陽性の濾胞性リンパ腫（FL）に対して、リツキシマブのみならず、2018年8月に販売開始されたオビヌツズマブとの併用療法が可能となり、患者に新たな治療選択肢を提供することができるようになった。同社によれば、2018年7月現在、欧米において悪性リンパ腫を適応症として、160超のBR併用またはベンダムスチン単剤との併用の医薬品の開発が進行中であるという（第Ⅲ相臨床試験が19件、第Ⅱ相臨床試験が104件、第Ⅰ相臨床試験が42件）。また、免疫チェックポイント阻害剤とBR併用またはベンダムスチン単剤との併用の治療の開発も進行している。これらの療法が承認を取得すれば、同社が開発費を投じることなくトレアキシン®の浸透が進み、認知度が向上することが期待できるという。加えて、2018年9月には新たな効果効果として、再生医療等製品の処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

さらに、経営基盤の強化のため、トレアキシン®を同社事業のより強固な土台とすべく、現在開発・販売中の注射剤に加えて経口剤の開発を推進する。2018年1月に進行性固形がんを対象としてトレアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞込むことを目的として、第Ⅰ相臨床試験を開始し、2018年5月に最初の患者登録後、症例集積を進めている。また、トレアキシン®の経口投与による免疫系への作用を評価すべく、自己免疫疾患の一種である全身性エリテマトーデス（SLE）に対する治療効果の確認を目的とする前臨床試験を実施するため、2018年5月に慶應義塾大学との間で共同研究契約を締結し試験に着手している。

抗がん剤SyB L-1101（注射剤）/SyB C-1101（経口剤）（一般名：Rigosertib Sodium（リゴセルチブナトリウム））

リゴセルチブ注射剤については、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、オンコノバ社）が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を2015年12月に同社が開始し、既に37症例が登録された。当該国際共同第III相試験は、標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない、治療後に再発したまたは低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髄異形成症候群（高リスクMDS）を対象とし、全世界から20ヵ国以上が参加して実施している。現在、症例集積が順調に進行しているが、2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、FDA（米国食品医薬品局）と事前に合意したアダプティブ・デザインにより統計学的な基準に基づき症例数を増加の上で当該試験を継続することを決定している。この成績を基に、日本での承認申請を欧米と同時期に行うことを計画している。

リゴセルチブ経口剤については、オンコノバ社が米国において初回治療の高リスクMDSを目標効能とする第I/II相臨床試験（アザシチジン併用）および輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とする第II相臨床試験を進めている。同社はリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために2017年6月に国内第I相臨床試験を開始し、現在症例集積が順調に進んでいる。同試験終了後、速やかにアザシチジンとの併用試験を実施し、オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第III相臨床試験に参加し、リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うことを計画している。また、輸血依存性の低リスク骨髄異形成症候群（低リスクMDS）を目標効能とした開発については、オンコノバ社の開発状況を見据えながら日本からの参加を検討している。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

2015年10月に、ザ・メディシNZ・カンパニー社（契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社）から導入したSyB P-1501については事業継続性について、同社が懸念を抱く事実が生じたため、患者の利益を最優先する観点から、2017年4月より新規症例登録を一時的に中断し、2017年11月にライセンス契約を解除。2018年2月に同製品の開発は中止した。

ザ・メディシNZ・カンパニー社によるライセンス契約の不履行に起因して生じた損害の賠償として、82百万米ドル（日本円換算で約90億円）の支払を求める仲裁を国際商業会議所の規定に基づき2017年10月に申し立てた。ザ・メディシNZ・カンパニー社との仲裁手続は現在も継続中である。

新規開発候補品

中長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るために、新薬開発候補品のグローバルライセンス権利取得に向け、探索評価を継続して実施しており、複数のライセンス案件を検討中である。また、2016年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として100%出資の米国子会社SymBio Pharma USA, Incを設立した。同社は、当該子会社を活用し、新薬候補品の全世界における権利を積極的に取得し、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を行うことで、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めるとしている。

海外

SyB L-0501については、韓国、台湾、シンガポールにおいても販売されており、同社の売上は概ね計画通りに推移した。

2017年12月期通期実績

売上高は、トリアキシン®の国内向け製品販売等により、3,444百万円（前期比45.4%増）となった。売上高の内訳として、商品売上高は3,444百万円（同61.1%増）、権利収入の計上はなかった（前期の権利収入は231百万円）。

同社は2016年12月にトリアキシン®の適応症に未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を加える承認を取得した。商品売上高は未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症とするトリアキシン®の売上高が増加した。権利収入について、前期は台湾におけるSyB L-0501の販売マイルストーン達成による権利収入を計上したが、今期はその影響が剥落した。

増収によって売上総利益は1,031百万円（前期比14.1%増）となった。売上総利益率は前期比で8.2ポイント低下の29.9%となった。上述の通り権利収入の計上がなかったことから売上総利益率は低下したが、商品売上に対する売上総利益率は前期比1.6ポイントの低下となった。

販売費及び一般管理費は、4,978百万円（前期比64.2%増）となった。研究開発費は3,018百万円（同81.0%増）となった。トリアキシン®、リゴセルチブナトリウム注射剤及び経口剤、SyB P-1501の臨床試験費用が発生したことに加え、トリアキシン®液剤（RTD製剤及びRI製剤）の導入費用（1,250万米ドル）が発生した。また、研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,961百万円（同43.7%増）となった。専門家への相談等が増加し、支払報酬が567百万円（同313.2%増）となった。

これらの結果、営業損失は3,947百万円（前期は営業損失2,127百万円）となった。経常損失は、株式交付費14百万円、為替差損10百万円、支払手数料9百万円を主とする営業外費用34百万円を計上したこと等により、3,977百万円（前期は経常損失2,317百万円）、当期純損失は3,978百万円（前期は四半期純損失2,313百万円）となった。

2017年12月期における事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 2017年8月、国内において、抗がん剤トリアキシン®の再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL：Diffuse Large B-cell Lymphoma））の適用症追加を目的とする第III相臨床試験開始を発表し、2018年1月に最初の患者登録を完了した。
- ▷ 2018年1月に進行性固形がんを対象としてトリアキシン®経口剤の第I相臨床試験を開始した。
- ▷ 2017年6月、リゴセルチブナトリウム（経口剤）について、治験薬の供給が再開されたことにより、国内第I相臨床試験を新たに開始し、2017年10月に最初の患者登録を完了した。
- ▷ 2017年6月、ザ・メディシンズ・カンパニー社（以下、MDCO）は、米国証券取引委員会に報告書（Form 8-K）を提出した。同報告書においてMDCOは、IONSYS（SyB P-1501の米国内での製品名）の米国市場からの撤退及び商業活動の中止の決定を報告した。同社は2017年5月にSyB P-1501の国内第III相臨床試験における新規症例登録の一時的な中断の決定を発表した。2017年10月に、同社はMDCOの契約違反により同社に生ずる損害の賠償（82万米ドル（約9,000百万円））を求めるとを目的として国際商業会議所の規定に基づく仲裁を申し立てた。
- ▷ 2017年11月、MDCOとの間で締結した短期術後急性疼痛管理を適応とした「SyB P-1501（米国での商品名IONSYS）」の開発および製造販売に関する独占的実施権の許諾にかかわるライセンス契約を解約した。2018年2月に同社は当該ライセンス契約の解約に伴い、当該製品の開発を中止した。
- ▷ 2017年8月、第三者割当による第42回新株予約権（潜在株式数：8,800千株（発行済株式数の17.97%）、資金調達額：1,910百万円（差引手取概算額））の募集に関して発表し、2018年1月に権利行使が完了した。主な資金用途は、トリアキシン®の再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型 B細胞リンパ腫）の開発に係る費用（900百万円）、トリアキシン®経口剤の権利取得に係る費用及び権利取得後の開発に係る費用（1,009百万円）である。
- ▷ 2017年9月、同社は、Eagle Pharmaceuticals, Inc.（Eagle社）との間でRTD製剤およびRI製剤であるベンダムスチン液剤製品（Teva Pharmaceutical Industriesの米国商標：BENDEKA®）の日本における開発・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結した。

国内

抗がん剤SyB L-0501/SyB L-1701 (RTD製剤) /SyB L-1702 (RI製剤) /SyB C-0501 (経口剤) (一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トリアキシン®)

抗がん剤トリアキシン®については、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫、及び慢性リンパ性白血病を適応症として、業務提携先のエーザイ株式会社（以下、エーザイ）を通じ、国内販売を行っている。

これらの適応症拡大を受けて薬価ベースの売上は前期比60.9%と大きく伸長し、それに伴い同社からエーザイへの製品売上についても前期比62.7%増となった。

同剤については、既に承認を取得した上記の3つの適応症に加え、引き続き新しい治療方法を必要としている患者のために、製品価値の最大化を図るべく4つ目の適応症の取得に取り組んでいる。既に第II相臨床試験を終了している再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫）については、医療ニーズが高いことを受けて、医薬品医療機器総合機構との協議を経て、2017年8月に適応症追加に向けた第III相臨床試験を開始し、2018年1月に最初の患者登録を完了した。

以上の追加適応症の拡大に関する従来の取組みに加え、トリアキシン®の製品ライフサイクル・マネジメントをより一層推進すべく、2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社：米国ニュージャージー州）との間でトリアキシン®液剤（RTD製剤及びRI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結した。これにより患者と医療従事者に大きな付加価値を提供し、特許保護を通じてトリアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能となった。

また、現在開発・販売中の注射剤に加えて経口剤の開発を推進することにより、固形がんや自己免疫疾患に取り組み、さらなる事業拡大の可能性を検討している。その取組みの中で、2018年1月に進行性固形がんを対象としてトリアキシン®経口剤の推奨投与量・スケジュール及び忍容性・安全性の検討を行い、がん腫を絞込み込むことを目的として、第I相臨床試験を開始した。

抗がん剤SyB L-1101 (注射剤) /SyB C-1101 (経口剤) (一般名：Rigosertib Sodium (リゴセルチブナトリウム))

リゴセルチブ注射剤については、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、オンコノバ社）が実施している国際共同第III相試験の日本における臨床試験を2015年12月に同社が開始し、既に30症例が登録された。当該国際共同第III相試験は、標準治療である低メチル化剤による治療において効果が得られない（HMA不応の）または治療後に再発した高リスク骨髄異形成症候群（MDS）を対象とし、全世界から20カ国以上が参加して実施している。同社は国内で2016年7月に最初の患者登録を完了し、現在、症例集積が順調に進行している。2018年1月に行われた中間解析結果を踏まえ、事前に計画した統計学的な基準に基づき症例数を増加の上で当該試験を継続することを決定している。

リゴセルチブ経口剤については、高リスクMDSを目標効能とした国内第I相臨床試験（アザシチジンとの併用試験）においてオンコノバ社からの治験薬供給遅延により症例登録が進行していなかった。今回、治験薬の供給が再開されたことにより、オンコノバ社が米国で実施している初回治療及び再発・難治性の高リスクMDSを対象とした第II相臨床試験において追加設定された高用量の安全性を確認するために2017年6月に国内第I相臨床試験を新たに開始し、10月に最初の患者登録を完了した。同社は、同試験で安全性を確認した後、アザシチジンとの併用試験を再開し、オンコノバ社が計画している初回治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による第III相国際共同試験に参加することを計画している。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

2015年10月に、ザ・メディシズ・カンパニー社（契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社）から導入したSyB P-1501については、入院期間中の短期術後急性疼痛管理を適応とした国内第III相臨床試験を2016年6月に開始し、2016年11月に最初の患者登録を完了し、その後症例集積が進行していた。しかし、ザ・メディシズ・カンパニー社の同製品の事業継続性について、同社が懸念を抱く事実が生じたため、患者の利益を最優先する観点から、2017年4月より新規症例登録を一時的に中断し、2017年11月にライセンス契約を解除した。

同社はザ・メディシズ・カンパニー社によるライセンス契約の不履行に起因して生じた損害の賠償として、82百万米ドル（日本円換算で約90億円）の支払を求める仲裁を国際商業会議所の規定に基づき2017年10月に申し立てた。

ライセンス契約の解約に伴い、同製品の開発は2018年2月に中止した。

新規開発候補品

中長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るために、新薬開発候補品のグローバルライセンス権利取得に向け、探索評価を継続して実施しており、現在、複数のライセンス案件を検討中である。また、2016年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として100%出資の米国子会社SymBio Pharma USA, Incを設立した。同社は、当該子会社を活用し、新薬候補品の全世界における権利を積極的に取得し、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を行うことで、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めるとしている。

海外

SyB L-0501については、韓国、台湾、シンガポールにおいても販売されており、同社の売上は計画を上回るペースで順調に推移した。

損益計算書

損益計算書 (百万円)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独
売上高	1,191	1,450	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836
前年比	-26.9%	21.7%	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%
売上原価	-	238	1,224	1,362	1,214	1,428	1,350	1,464	2,413	2,663
売上総利益	1,191	1,212	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173
売上総利益率	100.0%	83.6%	35.0%	30.3%	20.8%	26.9%	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%
販売費及び一般管理費	1,399	1,825	2,725	2,293	1,999	1,830	3,135	3,031	4,978	3,829
売上高販管費比率	117.5%	125.8%	144.8%	117.3%	130.4%	93.6%	162.1%	128.0%	144.5%	99.8%
営業利益	-208	-613	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業外収益	20	13	56	7	114	215	17	7	5	2
営業外費用	26	38	85	37	35	22	96	196	34	95
経常利益	-214	-638	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
特別利益	-	-	-	-	-	2	3	9	17	10
特別損失	-	0	5	0	-	3	1	1	15	10
法人税等	4	4	4	4	4	4	4	4	4	4
税率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
当期純利益	-218	-642	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
利益率(マージン)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

同社の損益計算書項目に関して、売上高から経常利益までの費用および各利益については「収益構造」の項参照。また、営業外損益、特別損益、法人税等について、特筆すべきことはない。

過去の会社予想と実績の差異

期初会社予想と実績 (百万円)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独
売上高(期初予想)	-	-	1,933	2,338	1,927	1,785	1,785	2,339	2,903	4,201
売上高(実績)	-	-	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836
期初会予と実績の格差	-	-	-2.6%	-16.4%	-20.5%	9.5%	8.3%	1.2%	18.6%	-8.7%
営業利益(期初予想)	-	-	-2,351	-1,625	-1,889	-1,654	-1,654	-2,778	-3,238	-2,981
営業利益(実績)	-	-	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656
期初会予と実績の格差	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益(期初予想)	-	-	-2,398	-1,652	-1,922	-1,650	-1,650	-2,811	-3,303	-3,044
経常利益(実績)	-	-	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749
期初会予と実績の格差	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
当期利益(期初予想)	-	-	-2,407	-1,656	-1,926	-1,654	-1,654	-2,815	-3,306	-3,056
当期利益(実績)	-	-	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753
期初会予と実績の格差	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

*2011年10月に上場のため、会社予想は2011年12月期以降

貸借対照表

貸借対照表 (百万円)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独
資産										
現金及び預金	3,902	2,314	4,559	4,540	6,163	5,692	4,261	5,719	2,947	4,821
有価証券	219	1,701	1,953	300	1,100	899	-	-	-	-
売掛金	-	6	162	148	-	273	301	487	490	412
たな卸資産	-	-	207	165	125	245	133	273	363	534
その他の流動資産	97	191	297	268	245	181	131	205	237	271
流動資産合計	4,218	4,213	7,178	5,421	7,634	7,290	4,827	6,685	4,037	6,038
建物 (純額)	3	3	2	3	2	22	22	31	28	37
工具、器具及び備品 (純額)	11	19	15	11	6	27	31	43	18	20
有形固定資産合計	13	22	17	14	9	49	53	75	47	57
投資その他の資産合計	27	27	48	57	37	49	53	77	100	73
ソフトウェア	2	1	10	8	6	62	51	42	66	51
その他	-	-	3	3	2	4	1	-	3	20
無形固定資産合計	2	1	13	11	8	66	52	42	69	71
固定資産合計	42	50	78	82	53	164	158	193	216	201
資産合計	4,261	4,263	7,256	5,502	7,687	7,454	4,984	6,878	4,252	6,239
負債										
買掛金	-	1	309	330	-	306	320	322	604	726
未払金	182	124	278	196	207	143	184	553	331	504
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	23	52	59	73	44	39	47	68	76	107
流動負債合計	205	178	646	599	251	488	551	942	1,011	1,336
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
社債	-	-	-	-	-	-	-	450	-	-
その他の固定負債	2	2	5	4	3	2	2	1	1	1
固定負債合計	2	2	5	4	3	2	2	451	1	1
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
負債合計	207	180	651	602	254	490	552	1,394	1,013	1,338
純資産										
資本金	3,378	3,711	6,025	6,025	8,059	8,331	8,331	9,948	10,762	12,973
資本剰余金	3,348	3,681	5,995	5,995	8,029	8,301	8,301	9,918	10,732	12,943
利益剰余金	-2,666	-3,309	-5,413	-7,146	-8,752	-9,868	-12,500	-14,813	-18,791	-21,543
自己株式	-	-	-0	-0	-0	-0	-0	-0	-0	-0
新株予約権	-	-	-	27	97	200	300	431	537	530
純資産合計	4,054	4,083	6,606	4,900	7,433	6,964	4,432	5,485	3,239	4,902
運転資金	-	5	61	-17	125	212	114	439	249	220
有利子負債合計	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
ネット・デット	-3,902	-2,314	-4,559	-4,540	-6,163	-5,692	-4,261	-5,719	-2,947	-4,821

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

資産

同社はファブレス経営を標榜しており、臨床試験、製造、販売は外部に委託している。そのため、資産の大半は流動資産であり、そのほとんどが現金及び預金である。

また、流動資産におけるたな卸資産は、トリアキシン®の製品在庫である。

負債

有利子負債はなく、負債項目としては、買掛金、未払金が計上されているに留まる。

純資産

資金調達により、資本金、資本準備金が増加している。一方、純損失を継続していることから、利益剰余金の欠損額は拡大している。

キャッシュフロー計算書

キャッシュフロー計算書 (百万円)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独
営業活動によるキャッシュフロー (1)	-211	-754	-2,074	-1,659	-1,677	-1,266	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325
投資活動によるキャッシュフロー (2)	-4	-116	-117	-411	-1,332	314	1,489	-44	-78	-26
FCF (1+2)	-215	-870	-2,191	-2,069	-3,010	-952	-783	-2,004	-3,894	-2,351
財務活動によるキャッシュフロー	2,963	663	4,611	-1	4,057	544	-3	3,658	1,164	4,272
減価償却費及びのれん償却費 (A)	4	7	8	9	8	13	24	26	30	35
設備投資 (B)	-3	-14	-12	-3	-	-109	-24	-28	-57	-40
運転資金増減 (C)	-	5	56	-78	142	86	-98	325	-190	-29
単純 F C F (NI+A+B-C)	-217	-655	-2,165	-1,650	-1,739	-1,298	-2,534	-2,640	-3,815	-2,729
現金及び現金同等物の期末残高	4,121	3,916	6,311	4,240	5,294	5,092	4,261	5,719	2,947	4,821

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

営業活動によるキャッシュフロー

営業活動によるキャッシュフローは、ほぼ税引前当期純損失に等しい。

投資活動によるキャッシュフロー

同社はファブレス経営であり、臨床試験、製造、販売は外部に委託していることから、有形固定資産、無形固定資産の取得による支出は限られる。2012年12月期、2013年12月期に投資活動によるキャッシュフローのマイナス額が拡大している理由は、定期預金の預入、有価証券の取得による。2015年12月期は定期預金の払戻による収入、有価証券の償還による収入によって、投資活動によるキャッシュフローは1,489百万円のプラスになった。

財務活動によるキャッシュフロー

財務活動によるキャッシュフローは、資金調達によりプラスが続いている。

主な資金調達

年月日	発行済株式 総数増減数 (株)	発行済株式 総数残高 (株)	資本金及び 資本準備金 増加額 (百万円)	資本金及び 資本準備金 (百万円)	
2009年3月	7,404	66,017	888	4,643	有償第三者割当
2009年11月	8,334	90,268	500	6,104	有償第三者割当
2009年12月	9,553	100,651	573	6,727	有償第三者割当
2011年2月	11,032	122,769	772	8,164	有償第三者割当
2011年2月	17,368	140,137	1,216	9,380	有償第三者割当
2011年10月	5,100,000	19,130,900	2,628	12,019	有償一般募集（ブックビルディング方式による募集）
2013年 1月～12月	3,921,257	23,052,157	1,244	13,263	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の 権利行使並びに新株予約権（ストックオプション）の 権利行使
2013年12月	6,720,200	29,772,357	2,504	15,767	有償一般募集（ブックビルディング方式による募集）
2014年12月	1,756,666	32,390,923	544	16,632	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の 権利行使並びに新株予約権の権利行使
2016年 1～12月	14,139,901	46,530,824	3,235	19,867	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の 権利行使並びに新株予約権の権利行使
2017年 1～12月	7,518,400	54,049,224	1,627	21,493	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の 権利行使並びに新株予約権の権利行使
2018年 4～12月	28,349,700	82,398,924	4,422	25,915	新株予約権の権利行使

出所：同社資料よりSR社作成

その他の情報

損害賠償請求

ザ・メディシNZ・カンパニーに対し82百万ドル損害賠償を求め、仲裁申し立て

同社は、短期術後急性疼痛管理を適応とした「SyB P-1501（米国での商品名IONSYS）」のライセンサーであるザ・メディシNZ・カンパニー（以下「MDCO」）に対し、2015年10月5日に両社間で締結した当該製品の日本における独占的製造販売権を許諾するライセンス契約に基づき、MDCOの契約違反により同社に生ずる損害の賠償を求めることを目的として国際商業会議所の規定に基づく仲裁を2017年10月11日に申し立てた。MDCOの契約違反は、当該製品の製造販売にかかわる米国および欧州市場からの撤退および商業活動の中止の決定に関連し、MDCOがライセンス契約に基づく義務の適切な履行を同社に対して保証できないことによるもので、同社はMDCOに対し82百万ドル（約9,000百万円）の損害賠償を求めている。

MDCOは、2017年11月9日付で米国証券取引委員会に提出した四半期報告書（Form 10-Q）において、ライセンス契約の規定に反し仲裁事案の発生を開示するとともにシンバイオに対する反訴の可能性について言及している。同社はMDCOの反訴には根拠が無いものと考えておりMDCOのいかなる主張に対しても厳しく反論するという。

国際商業会議所はパリに本部を置く国際機関で、日本を含む約130カ国が参加している。傘下の国際仲裁裁判所では国際的な商事契約から生じる紛争を訴訟ではなく仲裁によって解決を図っている。同裁判所の判断に一方の当事者が従わない場合、もう一方の側は強制執行することができる。

沿革

同社は、元米国アムジェン社副社長で、アムジェン株式会社の創業期から約12年間社長を務めた吉田文紀氏が、2005年3月に設立した医薬品企業である。吉田文紀氏は、日本アムジェン社長時代に、市場規模が小さいために採算性の観点から、治療効果の高い新薬の開発を中止せざるを得なかった経験を持つ。同氏は闘病生活を続けている患者に、治療効果をもつ新薬を届けたいという想いに駆られ、同社を設立した。

米国アムジェン社：バイオ医薬品業界最大手。1980年、米国カリフォルニア州サウザンド・オークスにおいて、AMGen（Applied Molecular Genetics）として設立。日本においては、1993年5月にアムジェン株式会社として業務を開始した。なお、2008年2月に武田薬品工業株式会社がアムジェン株式会社の株式を100%取得している。

2005年の設立当初、ベンチャーキャピタルからの出資を受けることが困難な中、第一製薬株式会社（現第一三共株式会社（東証1部4568））、株式会社医学生物学研究所（JASDAQ 4557）、イーピーエス株式会社（東証1部4282）、SBIホールディングス株式会社（東証1部8473）などから出資を受け、第1号開発薬トリアキシン®（ベンダムスチン塩酸塩）の導入に必要な資金（10億円）を調達。2005年12月、アステラスファーマ社（ドイツ、現アステラスドイツランド社）より、トリアキシン®の日本における独占的開発および販売に関するライセンス契約を締結した。

2008年9月のリーマン・ショック後は、トリアキシン®の研究開発が順調に進む一方、同社は資金不足に陥ったという。資金調達のために社長自ら世界50社以上のベンチャーキャピタルを訪ね、2008年12月、米セファロン社から15億円の資金提供を受けることで、窮地を凌いだ。

2010年10月、トリアキシン®の国内製造販売承認を取得。2010年12月、トリアキシン®の国内販売を開始した。

2019年2月現在、悪性リンパ腫の抗がん剤トリアキシン®が同社の主力商品である。また、トリアキシン®の適応症追加、トリアキシン®RTD製剤及びRI製剤、骨髄異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブに関して、国内承認取得に向け臨床試験の実施中または準備中である。

2005年3月	シンバイオ製薬株式会社を資本金3,000万円で設立
2005年12月	アステラス ファーマ社（ドイツ）より抗がん剤「Bendamustine Hydrochloride」の日本における独占的開発および販売に関するライセンス契約を締結
2006年3月	東京都より医薬品製造業（包装、表示、保管）の許可取得（許可番号：13AZ200010号）
2007年3月	アステラス ドイツランド社（ドイツ）より抗がん剤「SyB L-0501」の中国、韓国、台湾およびシンガポールにおける独占的開発および販売に関するライセンス契約を締結
2008年8月	抗がん剤「SyB L-0501」に関するライセンス契約をエーザイ株式会社と締結
2009年3月	中国における抗がん剤「SyB L-0501」の開発、および商業化権を供与するサブライセンス契約をセファロン社（米国）と締結
2009年5月	韓国とシンガポールを対象とした抗がん剤「SyB L-0501」に関するライセンス契約をエーザイ株式会社と締結
2010年9月	低悪性度非ホジキンリンパ腫、および慢性リンパ性白血病を適応症として「Symbenda®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）をシンガポールで新発売
2010年10月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の国内製造販売承認取得
2010年12月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の国内販売開始
2011年7月	オンコノバ社（米国）と抗がん剤「SyB L-1101/SyB C-1101」に関するライセンス契約を締結
2011年10月	慢性リンパ性白血病および多発性骨髄腫を適応症として「Symbenda®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）を韓国で新発売
2011年10月	大阪証券取引所JASDAQ市場グロースに上場
2012年2月	低悪性度非ホジキンリンパ腫および慢性リンパ性白血病を適応症として「Innomustine®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）を台湾で新発売
2015年10月	The Medicines Company社（米国）と自己疼痛管理用医薬品「IONSYS®」（イオンシス®）の日本における独占的開発および販売に関するライセンス契約を締結
2016年8月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の慢性リンパ性白血病に対する効能追加承認を取得
2016年12月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫に対する効能追加承認を取得
2017年9月	Eagle Pharmaceuticals社（米国）とベンダムスチン液剤（RTD製剤及びRI製剤）の日本における開発・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結

ニュース&ピックアップ

2019年6月

2019年6月12日、同社は代表取締役の異動（辞任）に関して発表した。

異動（辞任）する代表取締役

氏名	役職
浅川 一雄	代表取締役 副社長執行役員兼CCO

異動（辞任）の理由

浅川一雄氏より健康上の理由で代表取締役及び執行役員を辞任したい旨の申し入れがあり、2019年6月30日付で辞任する。

2019年5月22日、同社は抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」が前処置として使用される再生医療等製品発売に関して発表した。

同日、ノバルティスファーマ株式会社が、再発または難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病（B-ALL）、再発または難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象として、キメラ抗原受容体T細胞（CAR-T細胞）療法「キムリア®点滴静注」（以下、キムリア®）が薬価収載されたことを発表した。

同社は、2019年3月に抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）に関し、腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置に係わる一部変更の承認を取得している。キムリア®の発売により、トリアキシン®が同療法の前処置として使用されることが可能となる。

*腫瘍特異的T細胞輸注療法とは、腫瘍特異的T細胞（がん細胞を特異的に認識するT細胞）を患者に投与する療法である。多くの場合、がん患者の体内の腫瘍特異的T細胞の数は少なく、そのため患者のT細胞に体外で人工的にがん特異性を付与し、細胞を増幅した後に患者に投与する治療法（細胞輸注療法）が開発された。主な腫瘍特異的T細胞療法として、腫瘍細胞由来のペプチド抗原に特異的なT細胞受容体をコードする遺伝子をT細胞に導入して増幅・輸注する方法（TCR-T療法）や、腫瘍細胞上の膜抗原を認識する抗体の抗原結合部位と、T細胞受容体の細胞内ドメインを組合わせたキメラ抗原受容体（chimeric antigen receptor; CAR）をコードする遺伝子をT細胞に導入して増幅・輸注する方法（CAR-T療法）等がある。後者のCARの標的としてB細胞上に発現するCD19を用いた臨床試験では、B細胞性腫瘍患者にCD19指向性CAR導入T細胞が投与され、著明な臨床効果が得られている。

2019年4月

2019年4月10日、同社はトリアキシン液剤（急速静注製剤「RI製剤」）の治験に関する最初の患者登録について発表した。

同社は、トリアキシン®液剤（急速静注製剤「RI製剤」：点滴投与時間10分間）について、安全性の確認を主目的とした治験において、最初の患者登録を完了した。当該試験の症例数は36例で、既承認の全ての適応症に加え、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）も承認申請の対象となる。

同社は、2017年9月にEagle Pharmaceuticals, Inc.（本社：米国）との間で、トリアキシン®液剤（RTD製剤及びRI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結し、特許保護を通じてトリアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することを可能とした。RI製剤は、現在申請準備中の液剤（RTD製剤）と同様に溶解作業が不要であり、さらには点滴投与時間が従来の凍結乾燥製剤（FD製剤）の60分間に比べて10分間に短縮されるため、患者と医療従事者の負担を低減することにより付加価値を提供する。

RTD製剤は2019年第3四半期の承認申請により2021年第1四半期の発売を目指して準備中であり、RI製剤は当該試験終了後に承認申請を行い2022年上半期の発売を予定している。

2019年4月8日、同社は抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とした第III相臨床試験における症例登録完了について発表した。

同社は、実施中の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下、DLBCL）を対象とするトリアキシン®の第III相臨床試験において、症例登録が完了した。今後、登録症例のフォローアップ期間終了後、有効性及び安全性を統計解析し、再発・難治性DLBCLを追加適応症として、2020年12月期第2四半期中の承認申請を目指す。

2019年3月

2019年3月26日、同社は抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更承認に関して発表した。

同社は、抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）に関し、製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得した。

現在国内外で、腫瘍特異的T細胞輸注療法*の領域において新規医薬品の開発が進んでおり、この承認取得によって、トレアキシン®はこれらの新規治療の前処置として、患者に新たな治療選択肢を提供することが可能となる。同日付でノバルティスファーマ株式会社が、再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病（ALL）および再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に対する、国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法「キムリア®点滴静注」の製造販売承認を取得した。「キムリア®点滴静注」の発売後には、トレアキシン®が前処置として使用されることが可能となる。

*腫瘍特異的T細胞輸注療法とは、腫瘍特異的T細胞（がん細胞を特異的に認識するT細胞）を患者に投与する療法である。多くの場合、がん患者の体内の腫瘍特異的T細胞の数は少なく、そのため患者のT細胞に体外で人工的にがん特異性を付与し、細胞を増幅した後に患者に投与する治療法（細胞輸注療法）が開発された。主な腫瘍特異的T細胞療法として、腫瘍細胞由来のペプチド抗原に特異的なT細胞受容体をコードする遺伝子をT細胞に導入して増幅・輸注する方法（TCR-T療法）や、腫瘍細胞上の膜抗原を認識する抗体の抗原結合部位と、T細胞受容体の細胞内ドメインを組合わせたキメラ抗原受容体（chimeric antigen receptor; CAR）をコードする遺伝子をT細胞に導入して増幅・輸注する方法（CAR-T療法）等がある。後者のCARの標的としてB細胞上に発現するCD19を用いた臨床試験では、B細胞性腫瘍患者にCD19指向性CAR導入T細胞が投与され、著明な臨床効果が得られている。

2019年2月

2019年2月28日、同社は株式併合及び定款の一部変更に関して発表した。

同社は、2019年3月28日開催予定の定時株主総会において株主の承認を得ることを前提に、株式併合を実施する。株式併合の効力発生日を2019年7月1日とし、2019年6月30日（実質上6月28日）の最終の株主名簿に記録された株主の所有株式4株につき1株の割合で併合する。株式併合前の発行済株式総数（2018年12月31日現在）：82,398,924株に対し、株式併合により減少する株式数：61,799,193株、株式併合後の発行済株式総数：20,599,731株となる予定である。株式併合により、発行済株式総数が4分の1に減少するが、純資産等は変動しないので、1株当たりの純資産額は4倍となり、株式市況の変動など他の要因を除けば、同社株式の資産価値に変動はない。

2018年12月31日現在の株主名簿に基づく株主構成は、以下の通りで、400株未満の株式のみ所有の株主13,466名（所有株式数の合計 2,234,613株）は、株主としての地位を失うこととなる。

併合により減少する株主数

	株主数（割合）	所有株式数（割合）
総株主	31,858名（100.00%）	82,398,924株（100.00%）
400株未満所有株主	13,466名（42.27%）	2,234,613株（2.71%）
400株以上所有株主	18,392名（57.73%）	80,164,311株（97.29%）

2019年2月7日、同社は中期経営計画（2019年12月期～2022年12月期）について発表した。

中期経営計画の業績目標

(百万円)	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期
	実績	会予	目標	目標	目標
売上高	3,810	4,465	3,282	9,132	11,282～11,809
営業利益/損失	-2,656	-3,587	-5,180	1,225	2,084～2,464
経常利益/損失	-2,749	-3,612	-5,224	1,181	2,040～2,420
当期純利益/損失	-2,753	-3,616	-5,228	1,005	1,736～2,060

出所：同社資料をもとにSR社作成

中期経営計画（2019年12月期から2022年12月期）の業績目標

売上高

売上高については、トリアキシン®の製品売上がその大半を占めている。製品売上の目標数値については、直近で見られる市場への浸透のペース及び売上高の傾向を反映させ、中期経営画期間の売上成長率を見直した結果を計上した。現在の同社の売上高は販売委託先であるエーザイへの製品出荷売上をベースとして計上しているが、2021年以降の自社販売体制においては同社から医薬品卸業者への製品出荷売上をベースとした金額を計上している。

2021年からの自社販売体制への移行に伴い、同社製品の出荷先がエーザイから医薬品卸業者へと切り替わることに先駆けて、2020年末に向けエーザイ在庫を縮減する必要がある。そのために、市場の実需を反映したトリアキシン®の薬価ベースの売上については堅調に推移するものの、エーザイ向け製品の出荷を2020年上半期末を目途に終了する予定である。2020年の同社売上はその相当分減少することを見込んでいる。

2021年12月期第2四半期に承認取得を計画している再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加により2021年以降トリアキシン®の製品売上の拡大が見込まれるが、2022年については同適応症における市場浸透率の変動幅を想定した上で売上高を算定し目標数値としている。

販売費及び一般管理費

販売費及び一般管理費については、主に研究開発費、その他販売費及び一般管理費に区分した。

- ▷ 研究開発費については、トリアキシン®及びリゴセルチブ注射剤と経口剤からなる既存パイプラインの最新の開発計画の想定に基づいて費用を計上した。
- ▷ 既存パイプライン以外の新規開発候補品については、継続して評価・検討は進めるものの導入及び開発に関する費用は計上していない。
- ▷ その他販売費及び一般管理費については、主としてトリアキシン®のマーケティング業務、生産物流業務、事業開発業務、管理業務関連費用で構成される。2021年からのトリアキシン®の自社販売に向けて、2019年以降、自社販売体制の構築・運営に係わる費用を計上している。主に医薬情報担当者の増員に伴う人件費および活動コストの増加を見込んでいる。

人員計画

人員計画については、2021年からの自社販売及びその後のリゴセルチブ注射剤の上市準備のために必要な医薬情報担当者の増員を60名まで想定する一方で、それ以外の組織においては必要最小限の人員配置を計画し、そのための人件費を計上している。

資金計画

資金計画については、黒字化が実現する2021年までに必要な事業資金を確保すべく、2018年4月に第45回乃至第47回新株予約権の発行を機関決定した。同新株予約権の割当ては、導入済パイプラインの開発及び自社販売体制の構築のための資金需要及び長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入やM&A等の投資を目的とした資金需要を基本的に賄うことができる水準を確保している。

2019年1月

2019年1月7日、同社はリゴセルチブ経口剤の第III相臨床試験に関する米国FDAへのSPA（特別プロトコル査定）申請について発表した。

2018年12月に、同社が2011年7月に導入した抗がん剤「リゴセルチブ」のライセンサーであるOnconova Therapeutics, Inc. (以下、オンコノバ社) は、成人の未治療高リスク骨髓異形成症候群 (MDS) に対するリゴセルチブ経口剤とアザシチジン併用による第III相臨床試験についてSPA (特別プロトコル査定) をFDAに申請した。

SPA (特別プロトコル査定) とは、第II相臨床試験終了後に、第III相臨床試験について、対象疾患、目的、試験デザイン、主要及び副次評価項目 (エンドポイント)、解析方法などに関してFDAと事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認める制度である。この制度を利用することにより、FDAに対して承認申請後、試験結果の評価および審査について、エンドポイントが達成されていれば、承認の可能性が高まり審査のプロセスと時間が短縮される。

オンコノバ社によれば、FDAとのSPAに関する協議は2019年12月期第2四半期累計期間 (上期) に結論が出ることが想定されている。その後、全奏効率 (全症例数に対する完全寛解 (CR) 及び部分寛解 (PR) の比率) を主要評価項目とした第III相臨床試験が開始される予定である。

2018年12月

2018年12月4日、同社はリゴセルチブ経口剤の第II相臨床試験に関する米国血液学会議での口演について発表した。

同社が2011年7月に導入した抗がん剤Rigosertib (以下、リゴセルチブ) のライセンサーであるOnconova Therapeutics, Inc. (以下、オンコノバ社) が、2018年12月1日に米国カリフォルニア州サンディエゴで開催された第60回米国血液学会議年次総会において、リゴセルチブ経口剤の第II相臨床試験の結果を口演発表した。

オンコノバ社の発表内容の要旨は以下の通りである。

「一日あたりのリゴセルチブ投与量を840mgまたは1120mgに設定したアザシチジン併用試験において、低メチル化剤 (HMA) 未治療29症例に対する全奏効率 (ORR) は90%であり、そのうち10例 (34%) は完全寛解 (CR) であった。また、再発・難治性 (HMA不応) 26症例のうち、全奏効率は54%で、8%が完全寛解または部分寛解であった。有害事象については、泌尿器系に関するものを除きアザシチジン単剤と同様であり、泌尿器系の有害事象も高容量設定 (1,120mg) への各種安全性対策により軽減された。結論として、アザシチジン併用のリゴセルチブ経口剤は、HMA未治療および再発・難治性のMDS患者において良好な忍容性とすぐれた全奏効率および完全寛解を示した。同試験の結果により、未治療のMDS患者を対象とした第III相臨床試験を実施する道が開けたこととなる。」

同社は、米国血液学会議において発表された試験結果を受けて、日本においてもオンコノバ社が開始する未治療の高リスクMDSを対象としたアザシチジンとの併用による国際共同第III相臨床試験に参加すべく、準備を進めるという。

2018年11月

2018年11月30日、同社はトレアキシン液剤 (急速静注製剤) の治験開始について発表した。

同社は、トレアキシン®液剤 (急速静注製剤「RI製剤」：点滴投与時間10分間) について、安全性の確認を主目的とした治験を開始した。当該試験の症例数は36例で、既承認の全ての適応症に加え、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL) も承認申請の対象となる。

RTD製剤は2021年上半期の発売を目指して承認申請を準備中であり、RI製剤は当該試験終了後に承認申請を行い、2022年の発売を予定している。

2018年10月

2018年10月16日、同社は抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の自社販売に向けた準備開始について発表した。

同社によれば、2008年にエーザイ株式会社との間で締結したベンダムスチン（トレアキシン®）事業提携契約が2020年12月に満了となる。その後の抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の国内販売について、同社は自社による販売体制構築の準備を開始したことを発表した。

現在、同社はエーザイを販売元としてトレアキシン®の国内販売を行っているが、2021年12月期の黒字化達成とその後の収益の持続的拡大を目的として業務提携を含め検討し、自社販売体制の構築を決定した。

2021年12月期に向けて、血液疾患領域に特化した専門性の高い一貫した営業体制を構築し、トレアキシン®に加えて現在開発中の骨髄異形成症候群（MDS）を対象としたリゴセルチブ（注射剤及び経口剤）の販売を行うことにより、高い事業効率を達成するという。

なお、会社予想および2018年2月開示の4ヵ年中期経営計画については、2021年12月期より自社販売を前提として策定しているため変更はないとしている。

2018年9月

2018年9月27日、同社は抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の再生医療等製品の処置に関する一部変更承認申請に関して発表した。

同社は抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）に関し、新たな効能効果として、再生医療等製品の処置に使用可能とするため、製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

2018年4月23日付でノバルティスファーマ株式会社により、25歳以下の再発・難治性B細胞性急性リンパ芽球性白血病（ALL）および成人の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に対する、国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）医療の製造販売承認申請が行われている。今後、同製品が承認された場合、これらの疾患に対してトレアキシン®がCAR-T細胞医療の処置として使用されることが可能となる。

大株主

大株主の状況	所有株式数 (株)	割合
吉田 文紀	3,451,000	4.19%
CEPHALON, INC. セファロン インク (常任代理人 テバファーマスーティカル株式会社)	2,589,000	3.14%
松井証券株式会社	1,238,100	1.50%
日本証券金融株式会社	1,224,700	1.49%
エーザイ株式会社	833,400	1.01%
J.P. Morgan Securities plc (常任代理人 JPモルガン証券株式会社)	695,158	0.84%
早稲田1号投資事業有限責任組合	684,000	0.83%
藍澤証券株式会社	606,200	0.74%
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC) (常任代理人 三菱UFJ銀行)	599,876	0.73%
BNP PARIBAS LONDON BRANCH FOR PRIME BROKERAGE CLEARANCE ACC FOR THIRD PARTY (常任代理人 香港上海銀行東京支店カस्टディ事業部)	583,000	0.71%
計	12,504,434	15.18%

出所：会社データよりSR社作成
2018年12月末時点

*持株比率は発行済株式総数から自己株式を控除して計算している。

トップマネジメント

吉田文紀代表取締役社長

1971年学習院大学理学部卒業。MIT大学院修士課程修了（分子生物学）。ハーバード大学大学院で経営管理学、医療政策論研究。同大学院修士課程修了。MITにおいて、大腸菌のファージT4ウイルスの遺伝子地図づくりに取り組む中で、研究は時間をかけたからといって、成果が得られるわけではないと考え、サイエンスを理解できる企業家を目指し、ハーバード大学に転学し、経営管理学、医療政策論を学んだ。

1975年三菱商事株式会社入社。1977年エイ・エッチ・エス・ジャパン株式会社入社。1980年日本バイオ・ラッドラボラトリーズ株式会社設立。その後、日本シンテックス株式会社代表取締役社長を経て、1993年日本アムジェン株式会社設立、代表取締役社長。米国アムジェン社副社長。2005年3月シンバイオ製薬株式会社設立。同社社長。

従業員

2018年12月末時点における同社の従業員数は90名である。

従業員数 (人)	09年12月期 単独	10年12月期 単独	11年12月期 単独	12年12月期 単独	13年12月期 単独	14年12月期 単独	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独
従業員数	52	56	71	76	72	69	74	77	78	90
増減	10	4	15	5	-4	-3	5	3	1	12

出所：会社データよりSR社作成

ところで

臨床試験の概要

新薬の開発期間は10～17年

新薬開発のプロセスは以下の4段階に分けられ、一般的には、基礎研究から承認取得・製品化までは、通常10～17年を要する。

一般的な新薬開発のプロセスと期間

プロセス	期間	内容
基礎研究	2～3年	新規物質の創製及び候補物質の絞り込み
前臨床試験	3～5年	実験動物を用いて、有効性及び安全性を確認する試験
臨床試験	3～7年	第Ⅰ相：少数健康人を対象にして、安全性及び薬物動態を確認する試験 第Ⅱ相：少数患者を対象にして、有効性及び安全性を確認する試験 第Ⅲ相：多数患者を対象にして、既存薬との比較により有効性及び安全性を確認する試験
申請・承認	1～2年	国(厚生労働省)による審査

出所：同社資料よりSR社作成

化合物から医薬品としての製造承認に至る確率は10万分の1

一般的に、化合物開発から医薬品としての製造承認取得に至る確率は10万分の1であるといわれている。トムソン・ロイター2013年版製薬R&Dファクトブックによれば、2006年～2008年における世界の製薬会社の各プロセスの成功率は、前臨床：67%、第Ⅰ相臨床試験：46%、第Ⅱ相臨床試験：19%、第Ⅲ相臨床試験：77%、承認申請：90%であった。

また、抗がん剤の成功率は他の医薬品の成功率と比較して低い傾向がある。BIOtechNOWによれば、米国において、2004～2011年の間で第Ⅰ相臨床試験から承認取得までの抗がん剤の成功率が6.7%であったのに対し、他の医薬品は12.1%であったという。特に第Ⅲ相臨床試験の成功率の差が顕著であった。抗がん剤の第Ⅲ相臨床試験の成功率が45%であったのに対し、他の医薬品では同64%であった。

外国臨床データを受け入れる際に考慮すべき民族的要因についての指針

外国の臨床試験データの相互利用に関しては、その基本的な考え方が、1998年に厚生省（現厚生労働省）より「外国臨床データを受け入れる際に考慮すべき民族的要因についての指針」（ICH-E5 ガイドライン）として公表された。この指針ではある地域で得た臨床試験の結果を別の地域の住民集団に一般化し適用することを試験データの外挿と呼び、地域間での外挿可能性の評価に関する考え方を示している。

日本における承認申請には、日本人における薬物動態（投与された薬物がどのように吸収され、組織に分布し、代謝され、排泄される過程）データ、用量反応データ、および有効性に関する検証試験データが必要である。ただし、ブリッジング試験（外挿可能性を評価するための臨床試験）によって外国の臨床試験の結果を日本の住民集団に適用できると判断された場合には、有効性に関する検証試験として外国で実施された臨床試験結果を用いることができる。

用語解説

IgG

免疫グロブリンG (Immunoglobulin G) の略。IgGは血清中の免疫グロブリンの主体を占め、病原体に結合してその感染を阻止 (中和)、あるいは病原体をマクロファージが取り込みやすくするなど感染防御の主体をなしている。

イオントフォレーシス

微弱な電流を流すことによりイオン化された薬剤を経皮的に吸収させる方法。

SPA (特別プロトコル査定)

第II相臨床試験終了後に、第III相臨床試験について、対象疾患、目的、試験デザイン、主要及び副次評価項目、解析方法などに関してFDAと事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認める制度。当該制度を利用することにより、新薬承認申請をした場合に、第III相臨床試験の内容について予め当局による検討が終了しているため、承認申請後における評価、承認が得られやすくなり、より確実に市場への投入が期待できる。

MR (Medical Representative)

自社医薬品に関する情報の専門家として医療機関を訪問し、医療関係者と面談することにより、医薬品の品質・有効性・安全性等に関する情報の提供・収集・伝達を主な業務とする医療情報担当者のこと。

OS (Overall Survival:全生存期間)

基準日から全原因による死亡の日までの期間。エンドポイントが正確で測定しやすく、死亡日によって証明される。

希少疾病分野

医療上の必要性は高いものの、薬を必要とする患者数が少ない疾病分野のことで、この分野に対する開発の進んでいない医薬品をオーファンドラッグ (Orphan Drug、希少疾病用医薬品) という。

厚生労働省はオーファンドラッグの研究開発を振興するために、助成金などの優遇制度を設けている。当該指定を受けると、他の医薬品に優先して審査を受けられる (申請から承認までの期間が短縮される)、再審査期間を最長10年まで延長することができる、薬価への加算評価が期待できるといったメリットを享受することが可能となる。

KOL (Key Opinion Leader)

担当領域の治療において、他の医師に影響力を持つ医師のこと。

抗原

通常、細菌やウイルスの持つタンパク質等、体内で異物と認識され、抗原抗体反応を起こさせる物質のことを抗原という。抗原が体内に入ると、これを撃退するための物質として抗体が作られ、抗原を排除するために働く。さらにこの意味から派生して、抗体に結合する物質、あるいはこれから抗体を作製したい物質全般を、抗原と呼ぶこともある。

骨髄異形成症候群 (MDS : Myelodysplastic Syndromes)

MDSは、骨髄中の血球を作る造血幹細胞に異常が生じ、十分な量の血球を作ることができなくなり、血球減少を起こす疾患である。異常な造血幹細胞から作られた血球は、形態が異常となることから、「異形成」と呼ばれる。症状としては、貧血、感染、出血傾向が高頻度で起こる。主に高齢者に多く、また、MDSの患者が急性白血病に移行する比率は10~20%とされている。

CRO（Contract Research Organization：受託臨床試験実施機関）

製薬企業が、自社で実施する開発業務を遅滞なく進めるために、一部の業務について委託を行う機関。委託業務の内容としては、治験が実施計画書通りに遂行されているかをモニタリングするモニター業務や、臨床データを管理するデータ管理業務などがある。

第一選択薬

ある疾患に対して数ある治療薬のうち、最初に投与すべき治療薬のこと。有効性が高く、副作用も少ない薬が通常第一選択薬となる。これを投与しても効果が見られない場合、第二選択薬の投与にうつる。

非ホジキンリンパ腫（びほじキンリンパしゅ）

非ホジキンリンパ腫（NHL: Non-Hodgkin lymphoma）は、ホジキンリンパ腫以外の全ての多様な悪性リンパ腫を含む一群である。日本では、びまん性大細胞型（Diffuse Large Cell Type）が多い。

標準療法

科学的根拠に基づいた観点で、現在利用できる最良の治療であることが示され、ある状態の一般的な患者に行われることが推奨される治療。

ブリッジング試験

海外での臨床試験を活用し、国内での重複試験を避け、治療薬を早期に承認取得することを目的とする。海外での臨床試験データが、日本人の患者でも再現されることを確認するために実施される。

PFS（Progression-Free Survival：無増悪生存期間）

基準日から客観的な腫瘍増悪または死亡までの期間。がんが進行することなく患者が生存している期間のこと。

POC（Proof of Concept）

新薬候補物質の有効性や安全性を臨床で確認し、そのコンセプトの妥当性を検証すること。

マルチキナーゼ阻害作用

がんで活性が上がっている複数の（チロシン）キナーゼを阻害する作用。チロシンキナーゼは、細胞の増殖、分化などに関わる信号の伝達に重要な役割を果たす。遺伝子の変異によってチロシンキナーゼが異常に活性化すると、細胞が異常に増殖し、がんなどの疾病の原因となる。

慢性リンパ性白血病

骨髄中で白血球の一種であるリンパ球が腫瘍化し過度に増殖するがんの一種であり、欧米では全白血病の約30%を占める最も発症頻度の高い白血病である。国内の患者総数は2,000人程度で、新規の罹患率は10万人に0.3人前後と希少な疾患である。

マントル細胞リンパ腫

侵攻性の（増殖の速い）B細胞非ホジキンリンパ腫の一種で、通常は中年以上の成人に発生する。リンパ節、脾臓、骨髄、血液、消化器系などに生じる小ないし中等大のがん細胞を特徴とする。

モノクローナル抗体

単一の抗体分子を産生する細胞から得られた抗体のことをいう。特定の性質を持つ抗体を大量に産生することが可能であり、抗体医薬品の開発にも利用される。

用量反応性

薬剤の適切な用法・用量を設定するために検討するもので、薬剤の投与量と有効性の関係を示す。通常、薬剤の投与量が増加するに従って、有効性が高くなることが期待される。

社名の由来

同社は「共に創り、共に生きる」を企業理念としている。社名の「シンバイオ」は英語の「symbiosis（共生）」と「バイオテクノロジー」を組み合わせたもの。

会社のマークは、患者を中心に、医師、科学者、行政、開発資金の提供者が支え合う関係を象徴している。ロゴの色は、永遠の生命力「エヴァーグリーン」への探求姿勢を色で表現している。

企業概要

企業正式名称	本社所在地
シンバイオ製薬株式会社	〒105-0001 東京都港区虎ノ門三丁目2番2号 虎ノ門30森ビル
代表電話番号	上場市場
03-5472-1125	東証JASDAQグロース
設立年月日	上場年月日
2005年3月25日	2011年10月20日
HP	決算月
http://www.symbiopharma.com/index.html	12月
IRコンタクト	IRページ
-	http://www.symbiopharma.com/ir/index.html

株式会社シェアードリサーチは今までにない画期的な形で日本企業の基本データや分析レポートのプラットフォーム提供を目指しています。さらに、徹底した分析のもとに顧客企業のレポートを掲載し随時更新しています。SR社の現在のレポートカバレッジは以下の通りです。

株式会社アイスタイル	株式会社クリーク・アンド・リバー社	内外トランスライン株式会社
アイベツ損害保険株式会社	ケイアイスター不動産株式会社	長瀬産業株式会社
あいホールディングス株式会社	ケネディクス株式会社	ナノキャリア株式会社
株式会社アイモバイル	株式会社GameWith	日医工株式会社
株式会社アクセル	株式会社ゲームカード・ジョイコホールディングス	日進工具株式会社
アコーディア・ゴルフ・トラスト	株式会社ココカラファイン	日清紡ホールディングス株式会社
株式会社アジュバンスメジャパン	コムシスホールディングス株式会社	ニプロ株式会社
株式会社アズーム	コンドーテック株式会社	日本KFCホールディングス株式会社
アズビル株式会社	サトーホールディングス株式会社	日本工営株式会社
アズワン株式会社	株式会社サニックス	日本駐車場開発株式会社
アニコムホールディングス株式会社	サンバイオ株式会社	日本電計株式会社
アネスト岩田株式会社	株式会社サンリオ	株式会社日本マイクロニクス
A P A M A N株式会社	株式会社ザッパラス	ネットワンシステムズ株式会社
株式会社アバント	株式会社シグマクシス	株式会社ハウスドゥ
株式会社あらた	シップヘルスケアホールディングス株式会社	伯耆株式会社
アンジェス株式会社	株式会社SHIFT	株式会社ハビネット
and factory株式会社	株式会社シンクロ・フード	株式会社Hamee
アンリツ株式会社	シンバイオ製薬株式会社	株式会社ハーモニック・ドライブ・システムズ
アース製薬株式会社	株式会社シーアールイー	株式会社バン・パシフィック・インターナショナルホールディングス
アトスパークホールディングス株式会社	株式会社ジンスホールディングス	株式会社ビジョナリーホールディングス
株式会社RVH	株式会社ジェイ・エス・ピー	株式会社ビジョン
株式会社イエローハット	株式会社ジェイテックコーポレーション	BEENOS 株式会社
イオンデライト株式会社	Jトラスト株式会社	ビジョン株式会社
株式会社イオンファンタジー	株式会社JPホールディングス	株式会社ビーロッド
株式会社イグニス	ジャパンベストレスキューシステム株式会社	フィールズ株式会社
伊藤忠エクス株式会社	GCA株式会社	株式会社フェイスネットワーク
株式会社IDOM	スター・マイカ・ホールディングス株式会社	株式会社フェローテックホールディングス
稲畑産業株式会社	株式会社ストライク	藤田観光株式会社
株式会社インテリジェントウェイブ	株式会社スノーピーク	フリースピット株式会社
インフォコム株式会社	株式会社スリー・ディー・マトリックス	株式会社ブロードリーフ
株式会社インフォーマット	生化学工業株式会社	株式会社FRONTEO
株式会社エイジア	株式会社セリア	株式会社ベネフィット・ワン
株式会社エイチーム	株式会社セレス	株式会社ヘルバーク
株式会社エス・エム・エス	ソレイジア・ファーマ株式会社	株式会社マーキュリアインベストメント
SBSホールディングス株式会社	ソースネクスト株式会社	松井証券株式会社
株式会社FPG	第一稀元素化学工業株式会社	マックスグループ株式会社
株式会社エボラブルアジア	太陽ホールディングス株式会社	株式会社 三城ホールディングス
エリアリンク株式会社	株式会社高島屋	株式会社ミライト・ホールディングス
エレコム株式会社	タキヒコ株式会社	株式会社ミルボン
エン・ジャパン株式会社	株式会社ダイセイキ	メドピア株式会社
オイシックス・ラ・大地株式会社	中国塗料株式会社	株式会社メディカルシステムネットワーク
株式会社大泉製作所	株式会社チヨダ	株式会社メディネット
沖電気工業株式会社	株式会社テイクアンドギヴ・ニーズ	森永乳業株式会社
株式会社小野測器	株式会社ティア	ユシロ化学工業株式会社
株式会社オンワードホールディングス	株式会社TKC	株式会社夢興ホールディングス
株式会社オクファン	株式会社 ティーケービー	夢の街創造委員会株式会社
株式会社カナミックネットワーク	DIC株式会社	株式会社ユーグレナ
亀田製菓株式会社	デジタルアーツ株式会社	株式会社吉野家ホールディングス
株式会社 CARTA HOLDINGS	株式会社デジタルガレージ	株式会社ラウンドワン
カルナバイオサイエンス株式会社	株式会社デンポイノベーション	株式会社ラクーンホールディングス
キヤノンマーケティングジャパン株式会社	株式会社TOKAIホールディングス	株式会社ラックランド
株式会社キャリアデザインセンター	東洋インキSCホールディングス株式会社	リゾートトラスト株式会社
キュービーネットホールディングス株式会社	東洋炭素株式会社	株式会社良品計画
株式会社グッドコムアセット	東洋紡株式会社	レーザーテック株式会社
クミアイ化学工業株式会社	株式会社ドリームインキュベータ	株式会社レーサム
グランディアハウス株式会社	株式会社トライステージ	株式会社ワイヤレスゲート

※投資運用先銘柄に関するレポートをご希望の場合は、弊社にレポート作成を受託するよう各企業に働きかけることをお勧めいたします。また、弊社に直接レポート作成をご依頼頂くことも可能です。

ディスクレマー：本レポートは、情報提供のみを目的としております。投資に関する意見や判断を提供するものでも、投資の勧誘や推奨を意図したものではありません。SR Inc.は、本レポートに記載されたデータの信憑性や解釈については、明示された場合と黙示の場合の両方につき、一切の保証を行わないものとします。SR Inc.は本レポートの使用により発生した損害について一切の責任を負いません。本レポートの著作権、ならびに本レポートとその他Shared Researchレポートの派生品の作成および利用についての権利は、SR Inc.に帰属します。本レポートは、個人目的の使用においては複製および修正が許されていますが、配布・転送その他の利用は本レポートの著作権侵害に該当し、固く禁じられています。SR Inc.の役員および従業員は、SR Inc.の調査レポートで対象としている企業の発行する有価証券に関して何らかの取引を行っており、または将来行う可能性があります。そのため、SR Inc.の役員および従業員は、該当企業に対し、本レポートの客観性に影響を与えうる利害を有する可能性があることにご留意ください。

金融商品取引法に基づく表示：本レポートの対象となる企業への投資または同企業が発行する有価証券への投資についての判断につながる意見が本レポートに含まれている場合、その意見は、同企業からSR Inc.への対価の支払と引き換えに盛り込まれたものであるか、同企業とSR Inc.の間に存在する当該対価の受け取りについての約束に基づいたものです。

連絡先

株式会社シェアードリサーチ / Shared Research Inc.

東京都文京区千駄木3-31-12

HP: <https://sharedresearch.jp>

TEL: 03-5834-8787

Email: info@sharedresearch.jp