

# シンバイオ製薬株式会社

## 2020年度決算説明会

2021年2月9日

# 目次

---

第1部：2020年度決算概要……………	3
第2部：2021年度通期見通し……………	7
第3部：事業の進捗状況……………	15
第4部：中期経営計画……………	35

## 第1部：2020年度決算概要

---

第2部：2021年度通期見通し

第3部：事業の進捗状況

第4部：中期経営計画

# 2020年度 損益計算書



## 2020年度 業績ハイライト

- 売上高は29.9億円、出荷調整及びアステラス製品の不良品問題の影響で計画比88%に留まる
- 販管費は、自社販売体制の準備により増加、開発・管理経費を約9億円削減、前年比4.0%の微増
- 純損失は、△40.9億円、赤字幅前年比2.9億円の縮小

(単位:百万円)	2020年度 実績	2019年度 実績	前年比増減	増減%
売上高	2,987	2,837	149	5.3%
製品売上	2,977	2,811	165	5.9%
その他売上	10	26	△ 16	-62.2%
売上原価	2,120	1,973	147	7.5%
売上総利益	866	864	2	0.2%
販売費及び一般管理費	5,373	5,166	206	4.0%
研究開発費	2,266	2,441	△ 174	-7.2%
営業利益	△ 4,506	△ 4,301	△ 204	-
当期純利益	△ 4,090	△ 4,376	286	-

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(単位:百万円)

# 2020年度 貸借対照表



## 2020年度 業績ハイライト

- 株式発行により、42.7億円の資金を調達
- 期末現金残高は、前年同レベルの38.5億円
- 自己資本比率は64.3%

(単位:百万円)	2020年12月末	2019年12月末	増減
流動資産	5,781	4,887	893
現金及び預金	3,848	3,910	△ 62
固定資産	459	386	72
資産合計	6,240	5,273	966
流動負債	1,615	872	743
固定負債	2	1	0
純資産(株主資本等)	4,623	4,400	223
負債純資産合計	6,240	5,273	966

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(単位:百万円)

# 2020年度の事業目標は完遂

## 2020年度 事業目標

- ☑ 液剤RTD承認取得
- ☑ 自社営業組織構築 稼働開始
- ☑ 全国流通物流体制の構築
- ☑ r/rDLBCL適応(BR・PBR)承認申請完了
- ☑ BCVグローバル開発のCRO決定
- ☑ 42億円の資金調達  
+30億円の銀行融資枠確保

---

第1部:2020年度決算概要

**第2部:2021年度通期見通し**

---

第3部:事業の進捗状況

第4部:中期経営計画

# ”第二の創業” 元年

## ”グローバル・スペシャリティファーマ” の幕開け



経営のキーワードは....

- “Local & Global”
- “50・50 in 30”



# 2021年度 通期業績予想



## 2021年度 通期(1~12月)業績予想ハイライト

- 売上高は前年比206.4%増の91.5億円を予想、自社販売開始、液剤RTD発売、DLBCLの承認を見込む
- 売上総利益は、自社販売体制への切替、RTDの浸透により、前年比702.6%増の、69.6億円を予想
- OPEXは、前年比4.1%増の56億円を予想
- 純利益は11.5億円を予想

(単位:百万円)	2021年度 業績見通し	2020年度 実績	前年比増減	増減%
売上高	9,151	2,987	6,163	206.4%
製品売上	9,151	2,977	6,173	207.4%
その他売上	0	10	△ 10	-
売上原価	2,194	2,120	73	3.5%
売上総利益	6,957	866	6,090	702.6%
販売費及び一般管理費	5,596	5,373	222	4.1%
研究開発費	2,019	2,266	△ 247	-10.9%
営業利益	1,361	△ 4,506	5,867	-
当期純利益	1,149	△ 4,090	5,239	-

(単位:百万円)

# 2つのトランスフォーメーションを促進する 主要マイルストーン(2020年～2021年)



## 2020

- 液剤RTD承認取得
- 自社営業組織 稼働開始
- 全国流通物流体制の構築
- DLBCL適応の承認申請完了
- BCVグローバル開発のCRO決定
- 42億円の資金調達  
+30億円の銀行融資枠確保

## 2021 1H

- 液剤RTDの発売とFDの切替え促進
- リゴセルチブ再解析+応用研究開始
- 液剤RIの承認申請
- DLBCL適応 (BR+P-BR)承認・発売
- BCVのP2のINDをFDAに申請
- 月次PLの黒字化

## 2021 2H

- DLBCL適応の早期浸透
- BCVのP2のFPI達成
- Symbio Pharma USAの稼働開始
- BCVの国内POC試験の開始
- リゴセルチブ開発計画策定
- 年間PLの黒字化

トリアキシン®液剤RTD + 追加適応r/rDLBCLを自社販売により発売  
目標売上高113億円（薬価ベース）

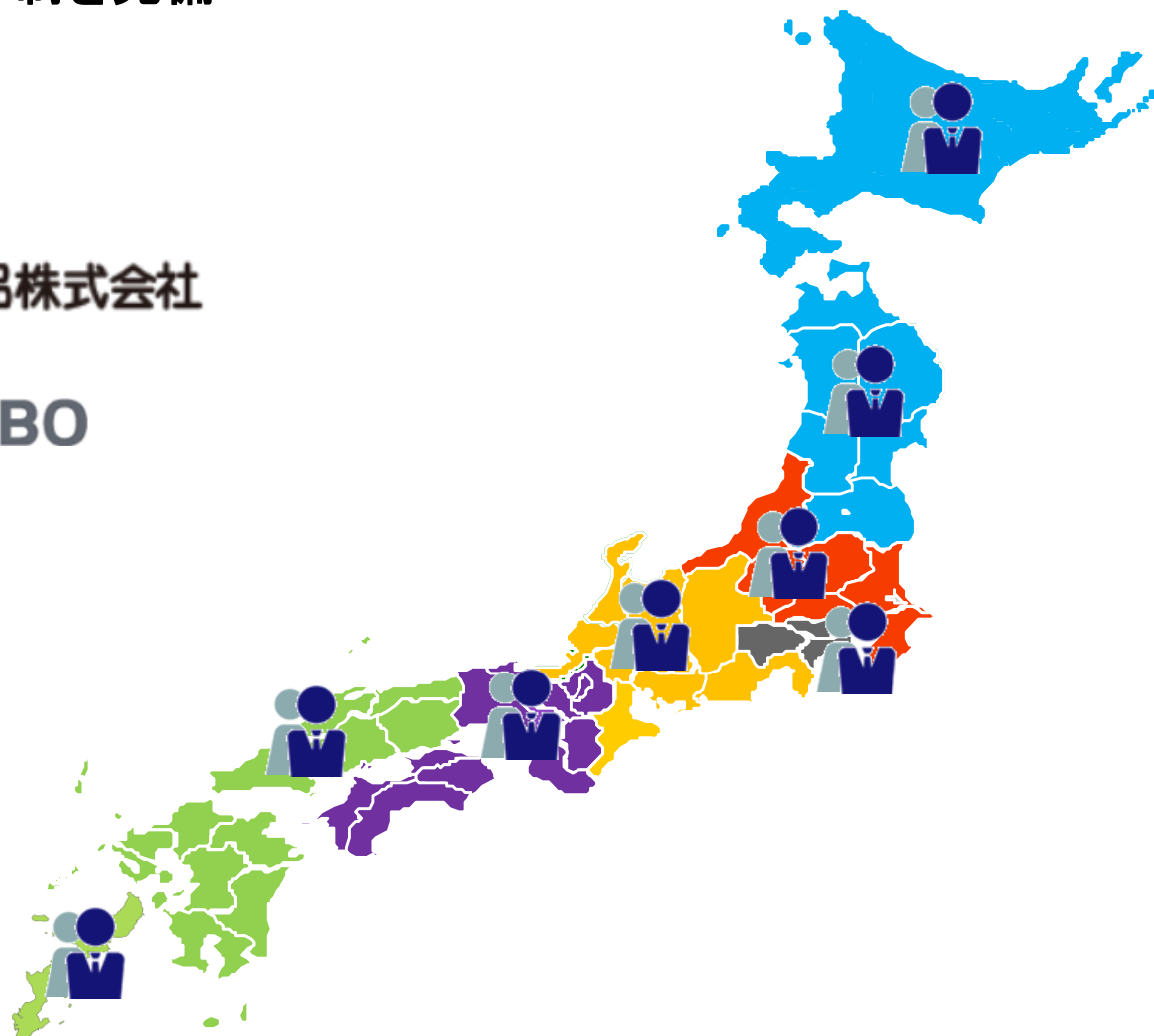


- 地域密着型の営業体制を構築、全国6つの地域に分け展開
- 学術的支援のため血液領域専門エキスパート(HE)を各地域に配置
- 全国流通物流体制を完備



+  東邦薬品株式会社

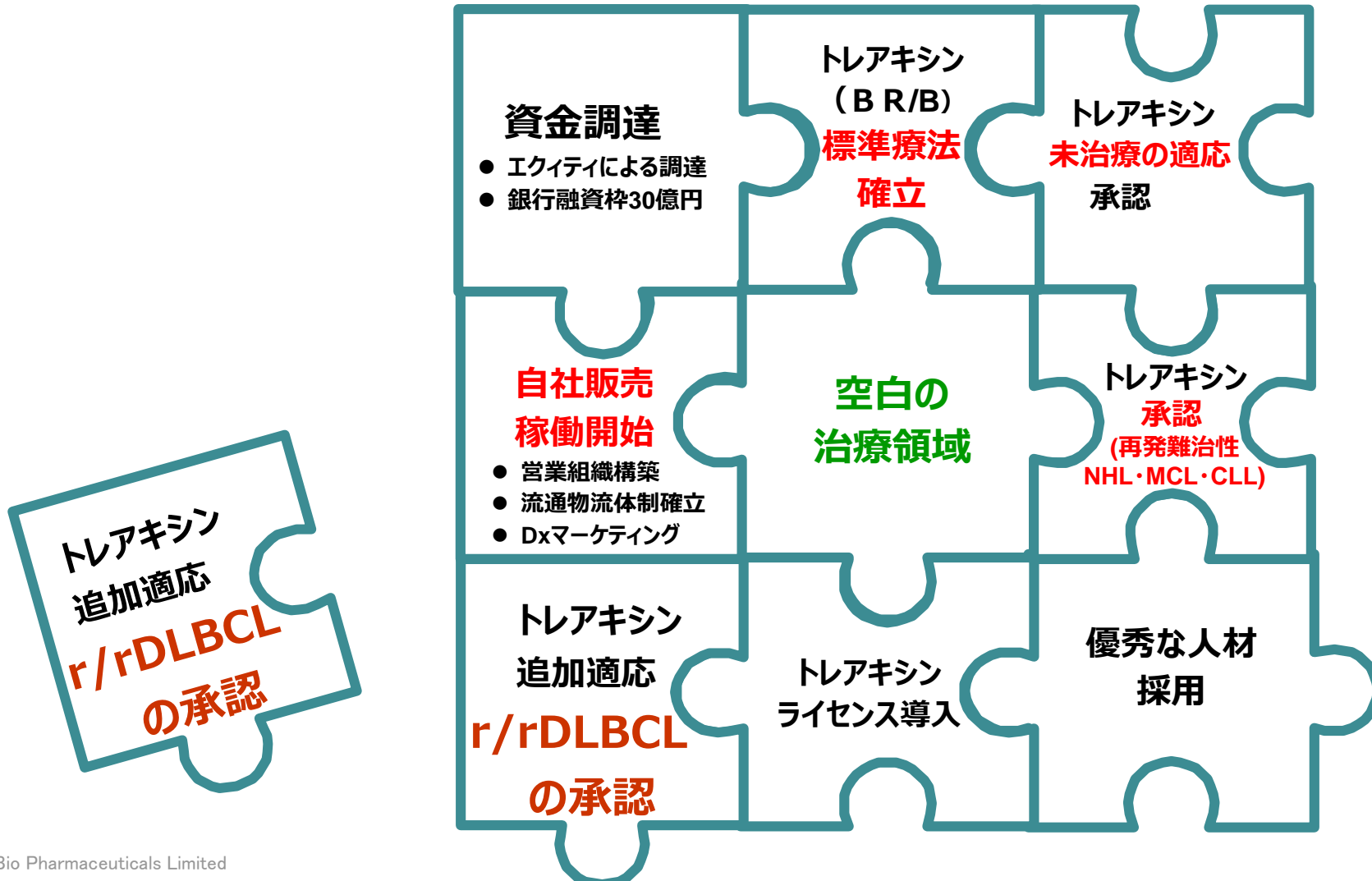
+ S.D.COLLABO



# 事業黒字化のジグソーパズル

どれがかけても黒字化には至らない...難解なパズル

残すは最後の1つのピース... **r/rDLBCL**の承認取得



◆ 第Ⅲ相試験結果

完全奏効率(CR) : 47.4%、奏効率(ORR) : 76.3%

分類	(症例数)	奏効率 (%)		総合効果 (%)	完全奏効 (%)
全症例	38	CR; 47.4	PR; 28.9	76.3	47.4
年齢別奏効率					
65歳未満	7	CR; 71.4	PR; 14.3	85.7	71.4
65 ~ 75歳	20	CR; 45.0	PR; 30.0	75.0	45.0
76歳以上	11	CR; 36.4	PR; 36.4	72.7	36.4

◆ 追跡調査試験を実施中(主要評価項目:全生存期間)



データの公表は上半期を予定

---

第1部:2019年度決算概要

第2部:2020年度通期見通し

**第3部:事業の進捗状況**

---

第4部:今後の展開

# 2018年10月の分水嶺から約2年、自社販売体制を確立 人+パイプライン+資金 が揃う

## ヒト



+ SymBio Pharma USA

## モノ

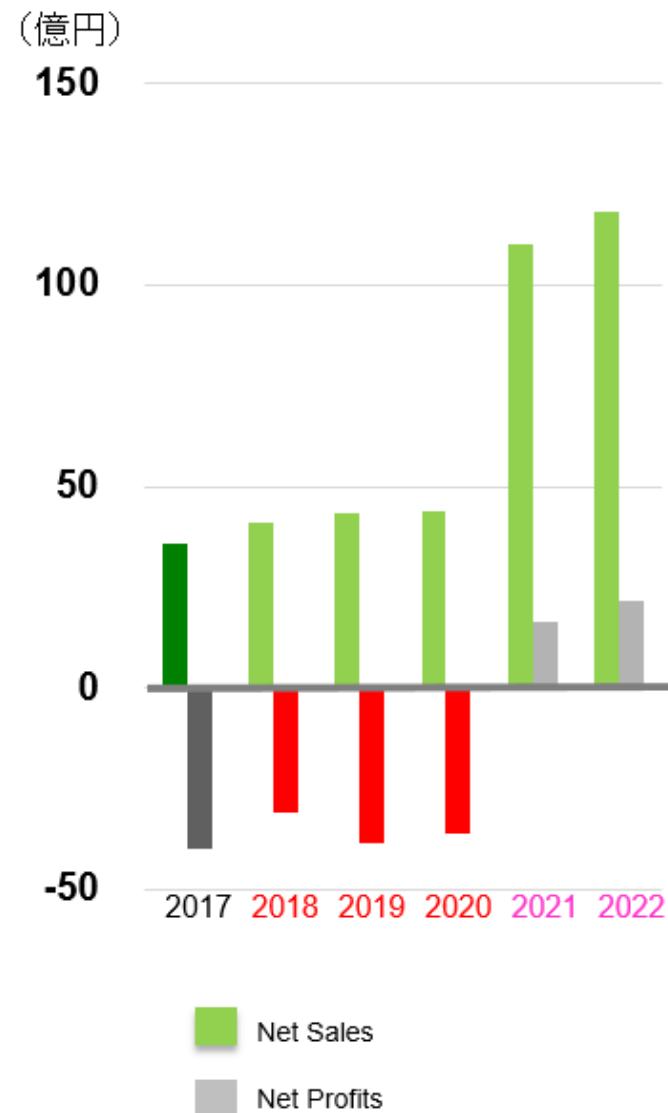
- 2018年7月  
標準療法となった  
● トレアキシン



+

- リゴセルチブ
- ブリンシドフォビル

## 資金



ベンダムスチン適応拡大に関する  
シンバイオ製薬株式会社の皆様へのメッセージ

一般社団法人グループ・ネクサス・ジャパン理事長

天野慎介(あまのしんすけ)

ベンダムスチン(販売名・トレアキシン)の初回治療に対する適応拡大につき、シンバイオ製薬株式会社の吉田文紀社長をはじめ、適応拡大に向けてご尽力いただいた社員並びに関係者の皆様に、改めて御礼申し上げます。

初回治療への適応拡大につきまして、ここ数年来、造血器腫瘍に関わる医療者や多くの患者さんより、適応拡大を切望する声をいただいております。特にここ数ヶ月は「いつから使えるようになるのか」とのご質問を当会にも多数頂いており、まさに多くの患者・家族の待ち望んだ適応拡大でした。

新規治療薬については、有効性と安全性を確認することが求められますが、ベンダムスチンについては既に多くの再発・難治性患者さんに対する使用実績もあり、その有効性と安全性は一定程度示されていると考えます。一方で、新規治療薬は必ずしも速やかに使用されるとは限りません。医療機関によっては合理的な理由もなく、単に「様子を見てから」という理由で患者さんに使用しないというケースも多いと見聞きします。必要とする患者さんが地域にかかわらず均しく新規治療薬の恩恵が受けられるよう、引き続きシンバイオ製薬株式会社の皆様のご尽力を賜りたく存じます。

なお、リンパ腫全体での新規治療薬の国内開発状況において、**びまん性大細胞型リンパ腫の再発・難治の新規治療薬については、残念ながら「真っ白」という状況であることが、改めて明らかとなっております。**患者さんは、**まだ従来の多剤併用療法以外に選択肢が無い状況**にあります。この研究開発や適応拡大については、様々な困難があるとは聞き及んでおりますが、ぜひこちらについても引き続きご検討をいただければと願っております。

がん患者さんは、新たな治療薬に希望をもちつつ、1日1日を大切に生きています。より多くの患者さんに新たな希望が届くよう、シンバイオ製薬株式会社の皆様にも引き続きご尽力を賜りたく、何卒よろしくお願い申し上げます。



# 現在のr/rDLBCL治療 多剤併用療法

多剤併用療法とは、複数の異なる特徴のある抗がん剤を組み合わせ、同時にまたは順次に用いることにより作用の増強を図ることで、がんに対してより効果的な治療を行うことが可能となる。しかしデメリットも多く、複数の薬を服用することにより副作用などの有害事象が起こり、特に高齢者には副作用が出やすいと考えられている。

療法名	使用する薬剤[成分名]
DHAP療法	デキサメタゾン、シスプラチン、シタラビン、(+R:リツキシマブ)
(R-)ESHAP療法	メチルプレドニゾロン、エトポシド、シタラビン、シスプラチン、(+R:リツキシマブ)
(R-)ICE療法	イホスファミド、カルボプラチン、エトポシド、(+R:リツキシマブ)
CHASE(R)療法	シクロホスファミド、シタラビン、デキサメタゾン、エトポシド、(+R:リツキシマブ)
Dose adjusted-EPOCH(-R)療法	エトポシド、プレドニゾロン、ビンクリスチン、シクロホスファミド、ドキソルビシン、(+R:リツキシマブ)
MINE療法	ミキサントロン、イホスファミド、メスナ、エトポシド
GDP療法	ゲムシタピン、デキサメタゾン、シスプラチン

# 年齢を問わず救済化学療法に対する 未充足度は極めて高い

現在の治療に対する満足度は、70歳以上では 25%以下

## r/rDLBCLの治療に対する満足度

(当社による市場調査結果、N=200)

		70歳未満	70歳以上
有効性	完全奏効 (CR)	31.4%	24.5%
	全生存期間 (OS)	30.4%	24.5%
	無増悪生存期間 (PFS)	26.0%	24.5%
	奏効到着時間 (TTR)	22.5%	21.1%
	奏効持続時間 (DoR)	22.1%	21.6%
安全性	発熱性好中球減少症 (FN)	21.6%	19.1%
	腎機能障害	27.0%	24.0%
	消化器毒性	25.5%	22.5%
	末梢神経障害	23.5%	19.1%
簡便性	レジメンの薬剤数	23.0%	16.7%
	拘束時間・入院期間	21.6%	17.6%
	薬剤費	18.1%	15.7%

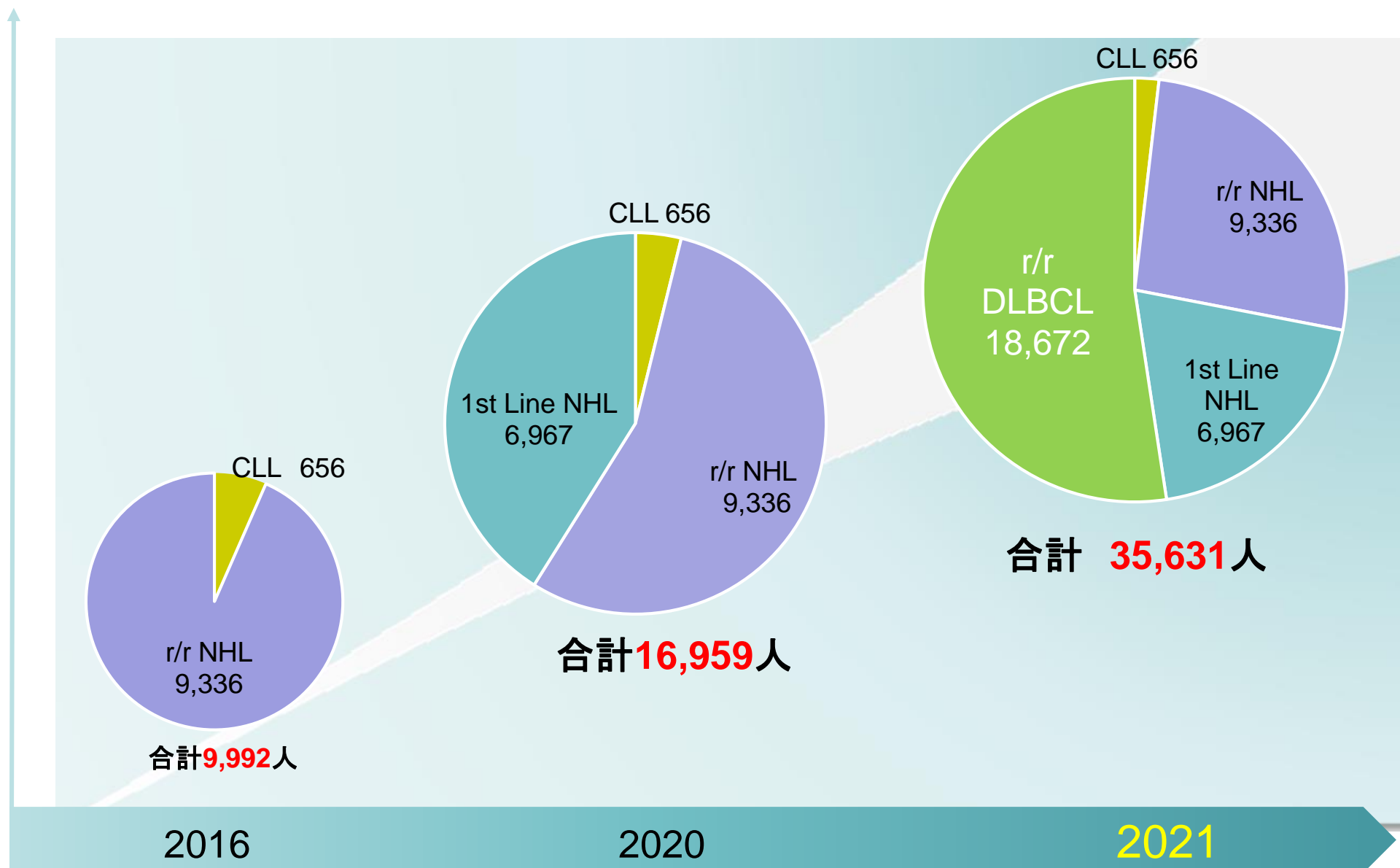
代表取締役社長COOの奥田 修氏のコメントを引用(中外製薬ニュースリリース)

“未治療のDLBCLは標準療法を受けた場合でも、約40%で再発が認められ、その後の治療選択肢は限られています。再発又は難治性のDLBCLは治療効果が不十分な場合も多く、アンメットメディカルニーズの高い疾患です”

中外製薬リンク:

[https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200630113000\\_992.html](https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200630113000_992.html)

# r/rDLBCLの適応追加により 対象患者数は約2倍に増加

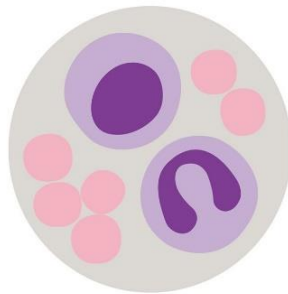


## 造血器腫瘍 診療ガイドライン

2018年版

Practical guidelines for hematological malignancies, 2018

一般社団法人 日本血液学会 | 編  
Japanese Society of Hematology



金原出版株式会社

“BR療法は悪性リンパ腫の  
治療領域の新しい歴史を創った”

Mathias Rummel教授



Osaka

トレアキシン<sup>®</sup>液剤(RTD/RI)は 知的所有権により2031年まで保護される

1. 既承認適応症の売上増大
2. 新剤型(RTD/RI)による製品寿命の延長
3. 新規適応症(r/rDLBCL)による売上拡大

売上の最大化

4. 自社販売体制の構築
5. 自社製造体制の構築

利益の最大化

# 標準療法(SOC)の強みをフルに活かした シンバイオの事業戦略

トレアキシン®  
持続的成長と事業価値の創造

既存  
適応症

+

新  
適応症

+

X  
+B(R)

●r/rDLBCL(BR120)

●P-**B**R90

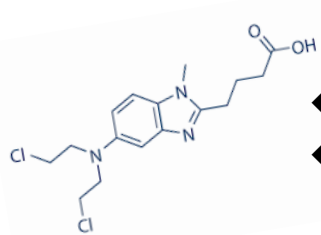
●G-**B**

**SOC** × **LCM**

SOC: Standard Of Care (標準治療)

LCM: Life Cycle Management (製品寿命)

# 進化を続けるベンダムスチン (トレアキシン®) ”秘めた未知の力”の探索



Bendamustine

- ◆ アルキル化剤
- ◆ プリン誘導体

- ◆ B+R(+X)
- ◆ STAT3 阻害
- ◆ LUBAC阻害

## What's next ?

### 1960~1999

- 東ドイツにおいて2人の科学者により合成される
- アルキル化剤とプリン誘導体を併せ持つ抗がん剤
- 乳がん、膀胱がん、小細胞肺癌、非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫等に広く使われる

### 2000~2025

- リツキサンとの併用療法により未療、再発難治低悪性度非ホジキンリンパ腫、MCL及びCLLで標準療法となる
- 更なる研究成果、新規の作用機序(STAT3阻害、LUBAC阻害)が示唆
- r/rDLBCLの追加適応承認の見込み

### 2026~

- アカデミアとの共同研究
- AIを駆使したターゲットの探索
- 新治療方法の特許戦略
- グローバル展開

\* PLOS ONE 2017, 12: e0170709

\*\* Cell Chem Biol 2018, 25:1117

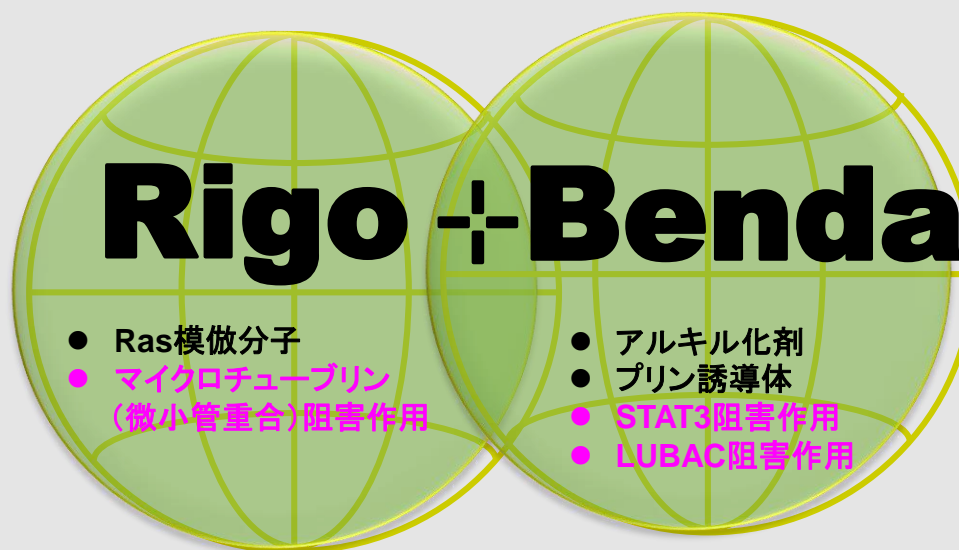


# リゴセルチブ 注射剤・経口剤 併用療法の可能性と今後の展開

## INSPIRE試験結果 からの推察

- 高レスポンス患者群の要因分析
- 新たな有用性
- 他剤併用での可能性

## トレアキシンを含めた既存薬との併用療法の可能性



- INSPIRE試験の追加解析
- 東京大学医科学研究所との共同研究
- AIによる解析と仮説検証

- 異なる作用機序による相乗効果
- 新規疾患ターゲットの探索

# リゴセルチブ経口剤 第Ⅱ相臨床試験結果

2018年米国血液学会議(ASH)にて発表



リゴセルチブ経口剤は、HMA未治療および再発・難治性のMDS患者を対象としてアザシチジン併用で、良好な忍容性と優れた全奏効率および完全寛解を示した。

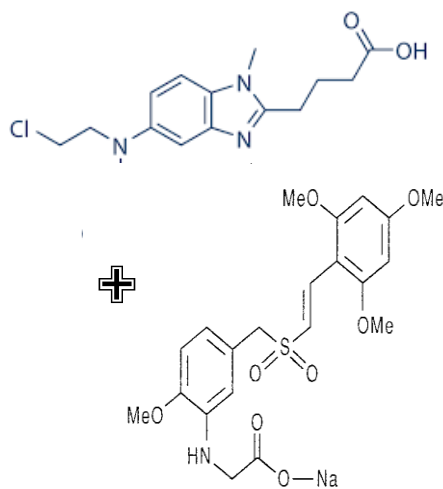
奏効率 (2006 IWG基準)	低メチル化薬 未治療例 (1 <sup>st</sup> line, 29例)	低メチル化薬 不応例 (2 <sup>nd</sup> line, 26例)
全奏効率	26例(90%)	14例(54%)
完全寛解(CR)	10例(34%)	1例(4%)
部分寛解(PR)	0例	1例(4%)

- ◆ 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用量設定(1120mg)への各種安全性対策により軽減された。

# アカデミアとの目的志向の共同研究で深掘り、 新作用機序、新疾患ターゲットを探索

## 他のアルキル化剤と交叉耐性を示さない多様な作用機序

### Bendamustine



$C_{21}H_{24}NNaO_8S$ ; 分子量: 473.48

### Rigosertib

- **STAT3阻害作用\***  
⇒ 増殖・薬剤耐性の抑制
- **LUBAC阻害作用\*\***  
⇒ NF- $\kappa$ Bの活性抑制
- **Ras 阻害作用**
- **マイクロチューブリン  
阻害作用**

\* PLOS ONE 2017, 12: e0170709

\*\* Cell Chem Biol 2018, 25:1117

### 期待する成果

- Benda+ Rigo併用療法
- 他の薬剤との併用による新治療法の創出
- 相補的關係にあるpathwayへのメリット
- がん根治療法につながる新たな知見
- がん領域以外の治療領域



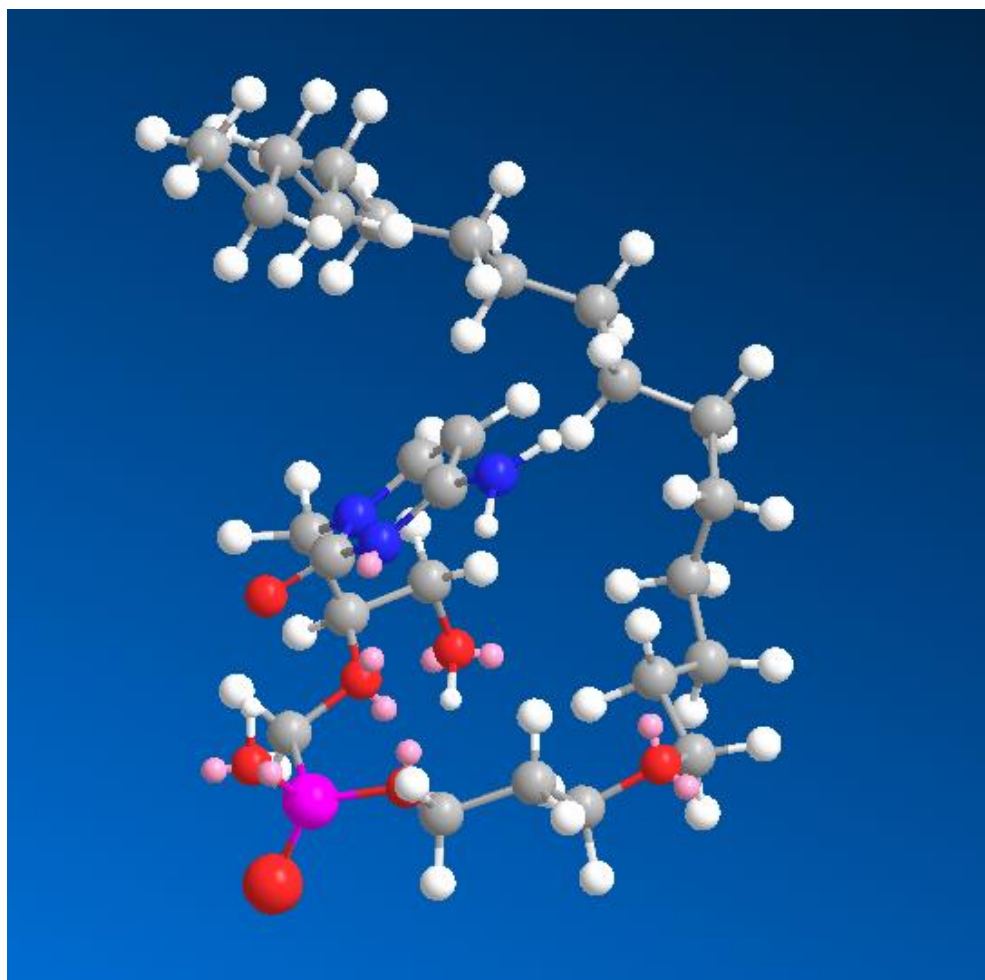
東京大学 医科学研究所先端医療研究センター  
北村俊雄教授

- エピジェネティック異常による造血器腫瘍の発症の分子機構解明
- 造血器腫瘍モデルを利用した新規治療法の開発
- 造血幹細胞の複製と分化の分子機構の解明

# 造血幹細胞移植領域のゲームチェンジャー プリンシドフォビル(BCV)



今期上半期に、BCV注射剤、欧米で臨床第Ⅱ相試験を開始



## ◆ 独占的グローバルライセンスの導入

プリンシドフォビルは核酸アナログで二本鎖(ds)DNAウイルス5種類に対するin vitro活性を有し、骨髄抑制は無く腎毒性のリスクも低いため造血幹細胞移植後及び臓器移植後のウイルス感染の管理を容易にする。

米FDAからサイトメガロウイルス、アデノウイルス、及び天然痘を対象としてファストトラック指定を受けた。また欧州EMAからアデノウイルス、サイトメガロウイルス、及び天然痘を対象としてオーファン指定を受けている。

# Chimerix社 BCV経口剤 天然痘を対象 新薬承認申請を完了

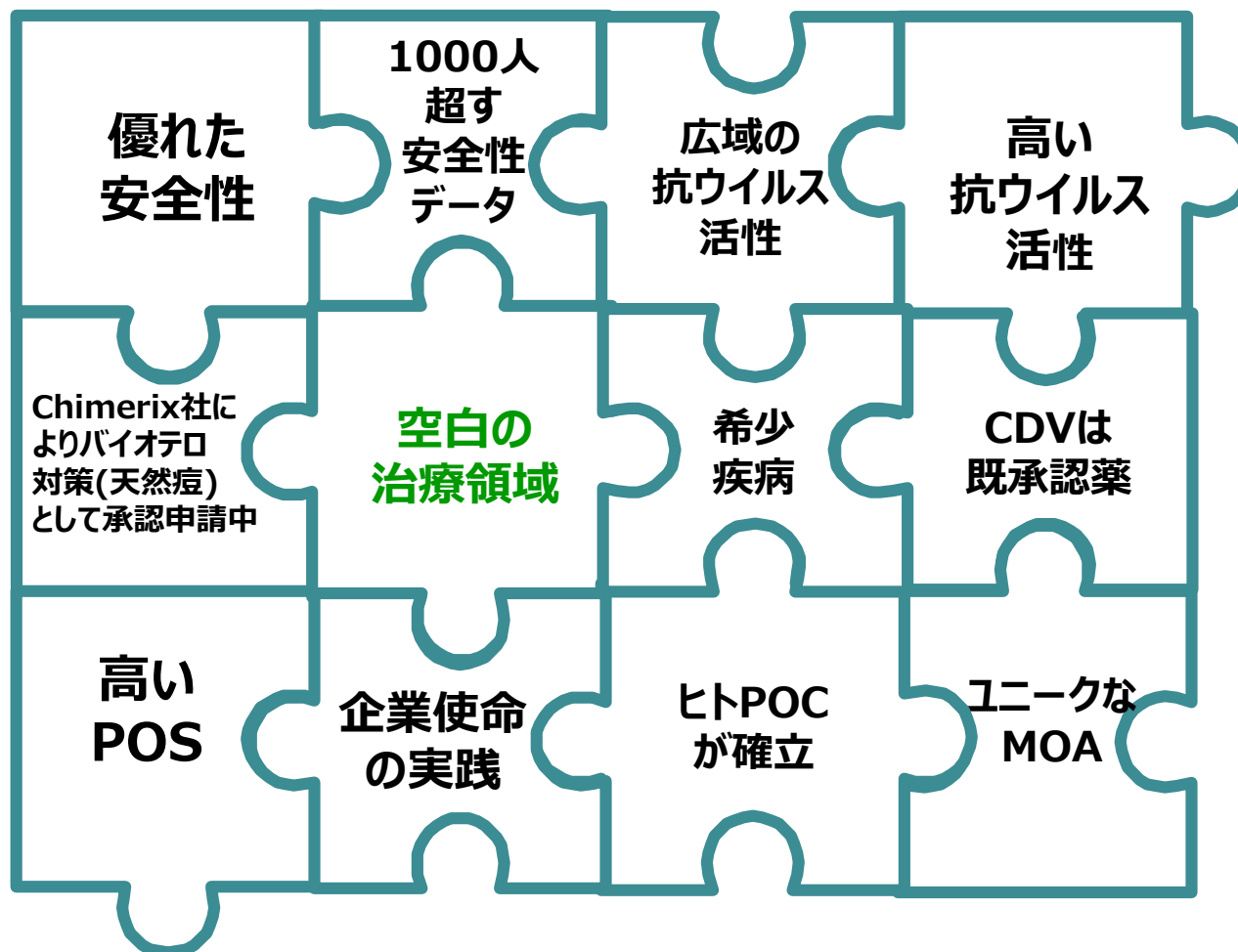


- FDAは天然痘を適応症として、ファストトラック指定及びオーファンドラッグ指定
- FDAは優先審査に指定し、**審査終了目標日を2021年4月7日に設定**
- BARDAは2011年にバイオテロの対策の一環として天然痘の適応症の開発を目的として、Chimerix社に対してUS\$100millionを超す開発資金を供与



About BARDA: Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA); part of the HHS Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response, was established to aid in securing The U.S. from chemical, biological, radiological, and nuclear (CBRN) threats, as well as from pandemic influenza (PI) and emerging infectious diseases (EID). BARDA supports the transition of medical countermeasures such as vaccines, drugs, and diagnostics from research through advanced development towards consideration for approval by the FDA and inclusion into the Strategic National Stockpile.

### BCV導入の12の理由



- 第二の創業の成長ドライバー
- グローバル事業の展開の布石

1

造血幹細胞移植後&臓器移植後のウイルス感染症の  
治療は「空白の治療領域」

2

対象地域は、日米欧を含む世界全域

3

天然痘を除くすべての対象疾患

4

開発・製造・販売を含めた独占的ライセンス権利

高活性/広域スペクトラムを持つ

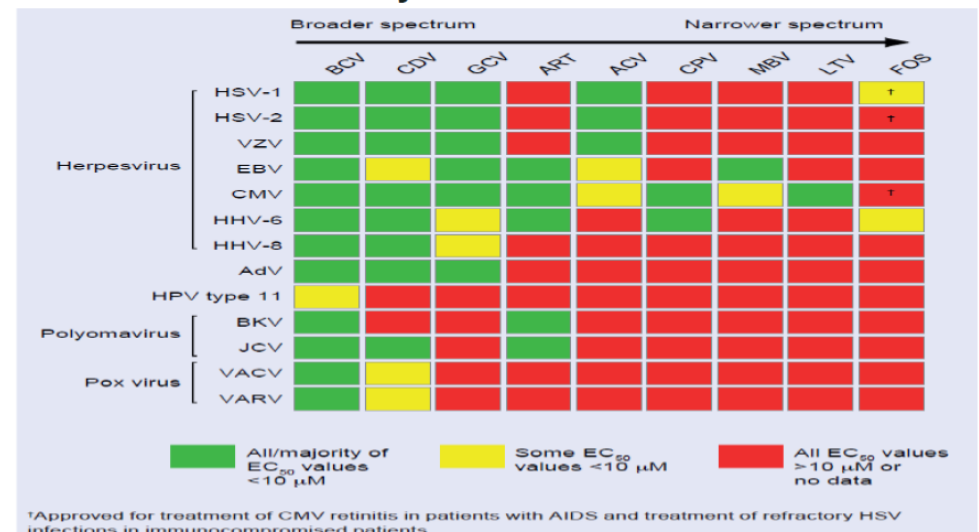
# 抗マルチ・ウイルス感染治療薬に対する期待は高い

## 抗ウイルス活性 IC50 (μM)

C<sub>max</sub> after oral 100 mg BCV: 0.445 μM

Viral Family	Virus	BCV	Cidofovir	Maribavir	Letermovir	Ganciclovir*	Foscarnet	Acyclovir
Herpes	Cytomegalovirus	0.001	0.4	0.31	0.005	3.8	50-800	>200
	Epstein-Barr Virus	0.03	65.6	0.63	>10	0.9	<500	6.2
	Human Herpesvirus 6	0.003	2.7	Inactive	>10	5.8	16	10
	Human Herpesvirus 8	0.02	2.6	Inactive	—	8.9	177	>100
	Herpes Simplex Virus 1	0.01	3.0	Inactive	>10	0.7	92-95	3.8
	Herpes Simplex Virus 2	0.02	6.5	Inactive	>10	2.5	91-96	4.4
	Varicella Zoster Virus	0.0004	0.5	Inactive	>10	1.3	39.8	3.6
Adenovirus	Adenovirus (AdV-B7)	0.02	1.3	—	>10	4.5-33	Inactive	>100
Polyoma	BK Virus (BKV)	0.13	115	—	—	>200	Inactive	>200
	JC Virus (JCV)	0.045	>0.1	—	—	—	Inactive	—
Papilloma	Human Papillomavirus	17	716	—	—	Inactive	—	Inactive
Pox	Variola	0.1	27	—	—	—	—	—
	Vaccinia	0.8	46	—	—	>392	Inactive	>144

## BCV: Broad Spectrum and High Potency vs. Other Antivirals Results from a systematic literature review



Potency expressed as EC<sub>50</sub> = concentration in μM required to reduce viral replication by 50% in vitro; "—" indicates no data.  
\*Valganciclovir is rapidly converted to ganciclovir in vivo; ganciclovir is the relevant compound for cell activity studies.  
Source: Data are compiled from multiple sources and include multiple materials and methodologies.

Note: BCV and CDV data here differ from a published paper (Viruses 2010,2:2740; also from Chimerix)

Cell lines used in studies with BCV:

- Human foreskin fibroblast (HFF) cells for AdV (J Infect Dis 2005,191:396), herpes (Antimicrob. Agents Chemother 2005, 49:3724), vaccinia (Antimicrob Agents Chemother 2002, 46:991)
- Embryonic normal human lung WI-38 cells for BKV (Antimicrob Agents Chemother 2006, 50:1564)
- Human fetal brain SVG cell for JCV (Antimicrob Agents Chemother 2010, 54:4723)



# ゲーム・チェンジャー戦略の展開

最初の開発ターゲット



アデノウイルス感染症治療  
小児・成人HSCT

vHC, HHV-6, BKV, EBV  
感染症治療

成人HSCT  
マルチウイルス感染症

臓器移植後の感染症

経口剤の改良開発

皮膚科領域疾患

眼科領域疾患

LCMによる  
適応拡大

---

第1部：2019年度決算概要

第2部：2020年度通期見通し

第3部：事業の進捗状況

**第4部：中期経営計画**

---

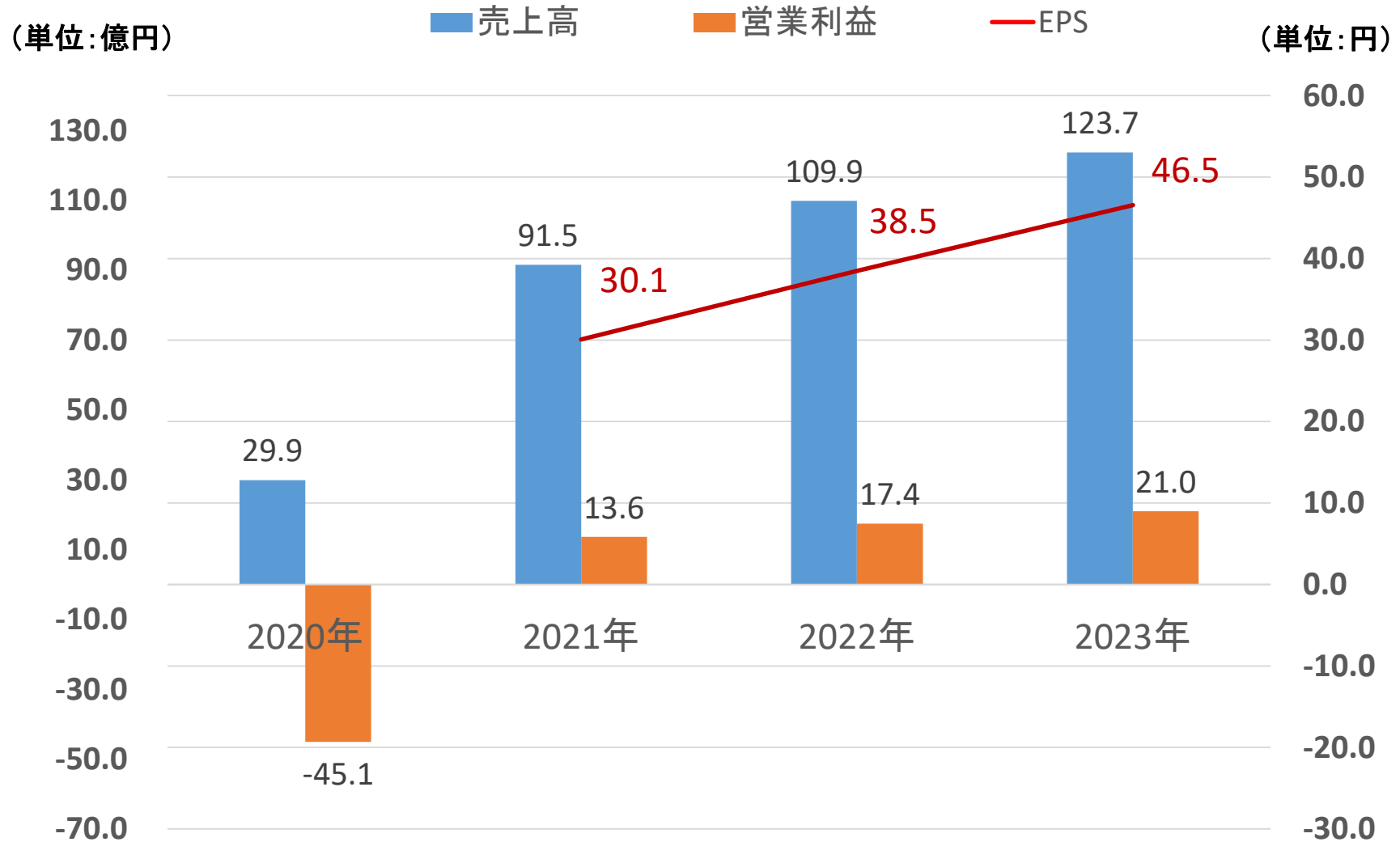


# 第2章

“創業期から成長期へ”

# 中期経営計画(2021~2023)

研究開発型事業から **収益モデルへの転換**



# 中期経営計画(2021~2023)

営業利益及びEPSともに、**20<sup>+</sup>%のYOYの伸長**を予想



(単位:百万円)

	2021年 12月期予想	2022年 12月期目標	2023年 12月期目標
売上高	9,151	10,985	12,369
営業利益	1,361	1,738	2,099
<b>営業利益率</b>	<b>14.9%</b>	<b>15.8%</b>	<b>17.0%</b>
経常利益	1,350	1,727	2,088
当期純利益	1,149	1,470	1,778
<b>EPS(円)</b>	<b>30.1</b>	<b>38.5</b>	<b>46.5</b>

# 第二の創業の経営

## 持続的な事業価値創造の戦略

事業価値の創造 = EPS X パイプラインの事業価値

### 2021~2025

既上市済製品及び近未来  
パイプラインの価値最大化

#### トレアキシン®

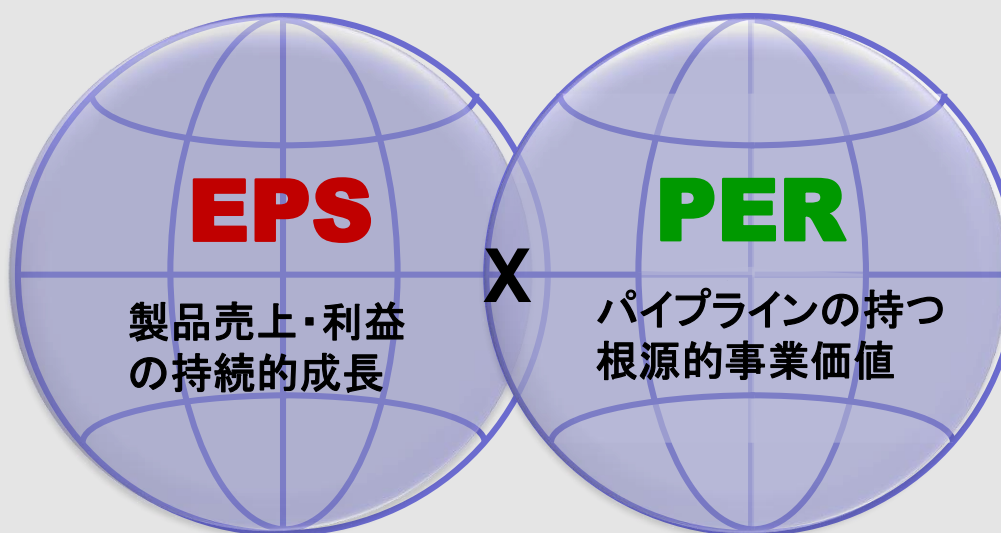
- 適応拡大
- RTD への切替え
- RI への切替え
- 新規化合物との併用

#### リゴセルチブ

- トレアキシン・他剤と併用
- 新規疾患ターゲット

#### BCV

- コア治療領域・地域以外での事業提携



### 2021~

- トレアキシン®  
新作用機序の解明と  
対象疾患の探索
- 新規パイプライン導入
- BCVグローバル事業展開
- BCVグローバル事業開発
- アカデミアと応用研究推進
- AI創薬による新発想

製品が生み出す収益を循環し、更なる  
事業価値最大化へ結びつける

# グローバル・スペシャリティファーマの実現 シンバイオの皆既日食を求めて

TIMING IS EVERYTHING !



# “新しい常態”への対応

## 新型コロナウイルス感染症拡大に対する取り組み



### 事業の継続性と医薬品の安定供給の維持

1. 社会的使命である、医薬品の安定供給・品質管理・安全管理・情報提供を続けるための必要な活動を継続する
2. 製造供給に関して、原料資材の調達元や製造委託先と緊密に連携をし、感染防止対策の下で供給リスク管理の徹底する
3. CRO(医薬品開発業務受託期間)と連携し、進行中の臨床試験への影響を最小限押さえる取り組みを実施する
4. 営業活動に関しては、各医療機関のルールに従った適切な情報提供及び収集を実施する

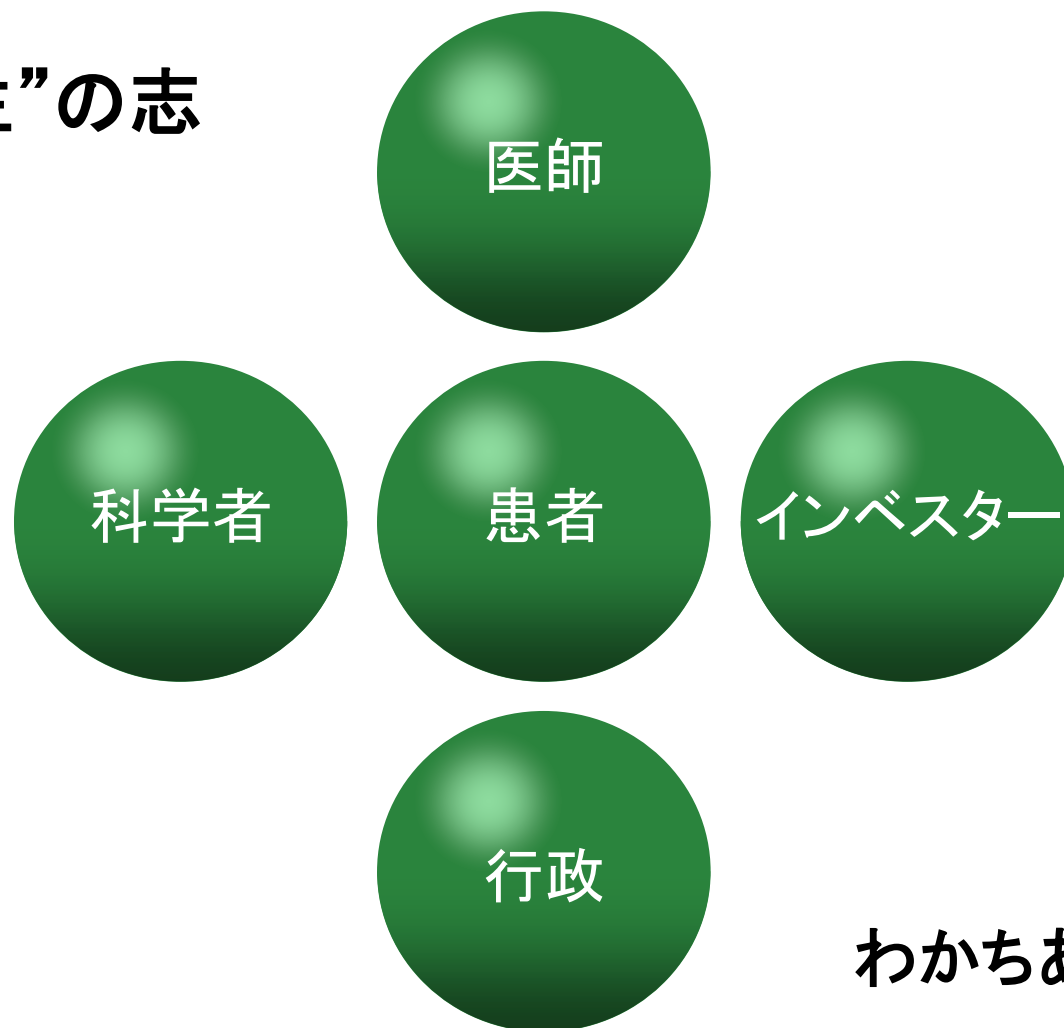
### 従業員の安全の確保

1. 毎日の健康管理、感染対策徹底による活動の継続  
(出社前の検温、マスク着用、手洗い、アルコール消毒、共用施設の清掃の励行)
2. リモートワーク実施のため、セキュリティの強化



# ご清聴ありがとうございました

## “共創・共生”の志



わかちあう、創薬の喜び