



シンバイオ製薬 | 4582

COVERAGE INITIATED ON: 2014.10.31

LAST UPDATE: 2021.06.08

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

SR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	10
事業内容	21
事業概要	21
事業戦略	24
パイプライン	27
収益構造	40
SW (Strengths, Weaknesses) 分析	42
マーケット概略	43
過去の業績	46
損益計算書	65
貸借対照表	66
キャッシュフロー計算書	67
その他の情報	68
沿革	68
ニュース&トピックス	69
大株主	75
トップマネジメント	76
従業員	76
ところで	77
企業概要	80

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・希少疾患領域を対象とする新薬候補品の開発権、販売権を取得し、臨床試験を実施、製造販売承認取得により、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。
- 2021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。
- 2020年9月に日本においてトレアキシ[®]RTD製剤の製造販売承認を取得し、2021年1月に販売を開始した。トレアキシ[®]RTD製剤はトレアキシ[®]凍結乾燥剤と比較し、手動による煩雑な溶解作業とそのためにかかる時間が不要で、患者と医療関係者の負担を低減することができるとしている。トレアキシ[®]凍結乾燥注射剤は2020年に再審査期間が終了するが、同社が独占的販売権を有するトレアキシ[®]RTD製剤の上市によって、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ったという。
- 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、および抗ウイルス薬プリンドフォビルである。このうち、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[®]について、2021年3月にリツキシマブ併用療法、およびリツキシマブとポラツズマブ ベドチンとの併用療法の承認を取得した。

業績動向

- 2020年12月期通期は、売上高2,987百万円（前期比5.3%増）となった。製品売上が2,977百万円（同5.9%増）、権利収入が10百万円（前期の権利収入は26百万円）となった。損益面では、営業損失4,506百万円（前期は営業損失4,302百万円）、経常損失4,616百万円（前期は経常損失4,377百万円）、当期純損失4,090百万円（前期は当期純損失4,376百万円）となった。
- 2021年12月期通期会社予想は、売上高9,151百万円（前期比206.4%増）、営業利益1,361百万円（前期は営業損失4,506百万円）、経常利益1,350百万円（前期は経常損失4,616百万円）、当期純利益1,149百万円（前期は当期純損失4,090百万円）を見込む。売上高では、自社販売への移行などによってトレアキシ[®]の国内の製品売上が増加する見通しである。損益面では、営業利益以下の各利益において増収効果および利益率上昇による黒字化を見込む。
- 中期経営計画（2021年12月期から2023年12月期）において、売上高成長と利益率向上の実現を図り、2023年12月期の売上高12,369百万円、当期純利益1,778百万円を計画している。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。

- 同社は2021年12月期の利益黒字化を計画しているが、その条件として、自社販売体制の構築、トレアキシン®液剤の承認と切り替え、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（DLBCL）の適応追加をあげていた。これらの中でも、自社販売体制の構築およびトレアキシン®液剤の承認と切り替えが、2021年12月期の利益黒字化を達成するために必要な売上総利益率上昇および売上総利益の増加の主要因であるとSR社は理解している。2021年2月時点において、自社販売体制の構築、トレアキシン®液剤の販売開始を既に達成しており、2021年12月期の利益黒字化に向けた準備は整いつつあるとSR社は考えている。また、DLBCLを対象としたトレアキシン®については、2020年5月に承認申請を行っている。

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、短期間で製品化（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、特定人物への依存度、特定製品への依存だと考えている。（「SW（Strengths, Weaknesses）分析」の項参照）

主要経営指標の推移

(百万円)	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 単独	20年12月期 単独	21年12月期 会予
売上高	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987	9,151
前年比	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%	206.4%
売上総利益	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173	865	867	-
前年比	-45.7%	-9.9%	-46.4%	65.6%	10.7%	55.1%	14.1%	13.7%	-26.3%	0.2%	-
売上総利益率	35.0%	30.3%	20.8%	26.9%	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%	30.5%	29.0%	-
営業利益	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506	1,361
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	14.9%
経常利益	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616	1,350
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	14.8%
当期純利益	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090	1,149
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	12.6%
一株当たりデータ (円、株式分割調整後)											
期末発行済株式数 (千株)	19,131	19,131	30,634	30,634	32,391	46,531	54,049	20,560	26,438	38,203	-
EPS (円)	-574.4	-362.4	-277.2	-145.0	-325.0	-235.3	-319.1	-165.5	-189.0	-124.1	30.1
EPS (潜在株式調整後)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
DPS (円)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
BPS (円)	1,381.1	1,018.8	957.9	835.2	510.2	434.4	200.0	212.2	143.1	105.8	-
貸借対照表 (百万円)											
現金・預金・有価証券	6,511	4,840	7,264	6,591	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849	-
流動資産合計	7,178	5,421	7,634	7,290	4,827	6,685	4,037	6,038	4,887	5,815	-
有形固定資産	17	14	9	49	53	75	47	57	75	77	-
投資その他の資産計	48	57	37	49	53	77	100	73	70	81	-
無形固定資産	13	11	8	66	52	42	69	71	241	302	-
資産合計	7,256	5,502	7,687	7,454	4,984	6,878	4,252	6,239	5,274	6,275	-
買掛金	309	330	-	306	320	322	604	726	121	665	-
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
流動負債合計	646	599	251	488	551	942	1,011	1,336	872	1,615	-
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
固定負債合計	5	4	3	2	2	451	1	1	2	2	-
負債合計	651	602	254	490	552	1,394	1,013	1,338	874	1,617	-
純資産合計	6,606	4,900	7,433	6,964	4,432	5,485	3,239	4,902	4,400	4,657	-
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	-2,074	-1,659	-1,677	-1,266	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325	-4,351	-4,122	-
投資活動によるキャッシュフロー	-117	-411	-1,332	314	1,489	-44	-78	-26	-216	-160	-
財務活動によるキャッシュフロー	4,611	-1	4,057	544	-3	3,658	1,164	4,272	3,740	4,222	-
財務指標											
総資産利益率 (ROA)	#REF!	-27.2%	-24.3%	-14.7%	-42.3%	-39.0%	-71.5%	-52.5%	-76.0%	-70.8%	-
自己資本純利益率 (ROE)	-39.4%	-30.2%	-26.3%	-15.8%	-48.3%	-50.4%	-102.6%	-77.8%	-107.4%	-104.7%	-
純資産比率	91.0%	89.1%	96.7%	93.4%	88.9%	79.7%	76.2%	78.6%	83.4%	74.2%	-

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

2021年6月8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。

2021年6月7日、同社は、キメリックス社による天然痘の医療用対策としてBrincidofovirのFDA承認取得に関して発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

Chimerix, Inc. (以下、キメリックス社) が2021年6月のプレスリリースにおいて、米国食品医薬品局 (FDA) から、天然痘の治療薬として成人および新生児を含む小児の患者を対象に、抗ウイルス薬Brincidofovir (以下、BCV) の錠剤および経口懸濁液 (以下、経口剤) の承認を取得したと発表した。

キメリックス社は、米保健福祉省 (HHS) の生物医学先端研究開発局 (Biomedical Advanced Research and Development Authority: BARDA) の継続的な資金提供と支援を受けてバイオテロ対策の一環として、天然痘治療のための医療対策としてBCV経口剤を開発した。今回の承認を受けて、国家的な準備を支援するための調達契約に向けて、BARDAとの交渉を進めるとしている。

同社は、2019年9月にキメリックス社からBCVに関して、天然痘の予防・治療を除くすべての適応症を対象とした全世界での独占的開発・製造・販売権を取得した。BCV注射剤について、現在、造血幹細胞移植後のアデノウイルス (AdV) 感染症を対象とするグローバル開発を進めている。

2021年5月19日、同社は、中外製薬による再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたポラツズマブ ベドチン (遺伝子組換え) の薬価収載についての開示に関して発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

中外製薬株式会社が、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を効能または効果としたポラツズマブ ベドチン (遺伝子組換え) について、薬価収載され販売を開始したと発表した。これに伴い、ベンダムスチン、リツキシマブ (遺伝子組換え) (BR療法) とポラツズマブ ベドチン (遺伝子組換え) との併用において「トレアキシシン®」の使用が可能となった。

2021年5月13日、同社は2021年12月期第1四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)

2021年5月10日、同社は、トレアキシシン®液剤「RI (急速静注) 投与」に関する承認申請完了に関して発表した。

(リリース分へのリンクは[こちら](#))

同社は、トレアキシシン®点滴静注液剤100mg/4mL (RTD製剤) のRI (Rapid Infusion: 急速静注) 投与について、医薬品製造販売承認事項に係る一部変更承認申請を行った。

2021年4月28日、同社は、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチン併用療法に関する承認取得について発表した。

(リリース分へのリンクは[こちら](#))

同社は、抗悪性腫瘍剤トレアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」(Ready-To-Dilute: 溶解不要で希釈するのみの製剤) (一般名: ベンダムスチン塩酸塩) について、リツキシマブ (遺伝子組換え) とポラツズマブ ベドチン (遺伝子組換え) との併用療法 (Pola-BR療法) における再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (再発又は難治性DLBCL) に対する効能・効果及び用法・用量追加 (ベンダムスチン塩酸塩として90mg/m²) に係る医薬品製造販売承認事項一部変更の承認を取得した。

同日、同社は、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ併用療法の承認取得に関して発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、抗悪性腫瘍剤トレアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」(Ready-To-Dilute: 溶解不要で希釈するのみの製剤) (一般名: ベンダムスチン塩酸塩) について、リツキシマブとの併用療法 (BR療法) における再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (再発又は難治性DLBCL) に対する効能・効果および用法・用量追加 (ベンダムスチン塩酸塩として120mg/m²) に係る医薬品製造販売承認事項一部変更の承認を取得した。

2021年4月26日、同社は、抗ウイルス薬ブリンシドフォビル注射剤が米国食品医薬品局 (FDA) によりファスト・トラックに指定されたことに関して発表した。

(リリース分へのリンクは[こちら](#))

抗ウイルス薬ブリンシドフォビル注射剤 (BCV IV) の小児のアデノウイルス感染症 (以下、AdV感染症) を対象とした開発プログラムが米国食品医薬品局 (FDA) からファスト・トラック (Fast track) 指定を受けた。

FDAのファスト・トラック指定制度は、重篤または生命を脅かす恐れのある疾患やアンメットメディカルニーズの高い疾患に対し、治療効果が期待される新薬をFDAが優先的に審査する制度であり、開発から審査までの迅速化を目的としている。当該指定を受けることにより、臨床試験に関する相談などFDAと協議する機会を多く与えられる。さらに臨床試験で有効性、安全性に関する結果が示されれば、審査期間が短縮される優先審査等によって承認を得ることが可能になる。

同社は、アンメットメディカルニーズの高い播種性アデノウイルス (AdV) 感染症および免疫不全状態でのアデノウイルス (AdV) 感染症を対象に、米国および英国を中心に国際共同第2相臨床試験を開始している。当該試験により、小児に対する用法用量を確認し、承認申請に向けて次のフェーズとなるグローバル試験を行う予定である。

同日、同社は、オンコノバ社の抗がん剤リゴセルチブの扁平上皮癌に対する医師主導の第2相試験における初回投与に関する開示について発表した。

(リリース分へのリンクは[こちら](#))

2021年4月22日（米国東部時間）に、抗がん剤リゴセルチブナトリウムのライセンサーであるOnconova Therapeutics, Inc.（オンコノバ社）は医師主導の第2相試験において最初の患者に投与を行ったことを発表した。この試験は、劣性栄養障害型表皮水疱症（RDEB）関連の局所進行・転移性扁平上皮癌（SCC）患者を対象に、リゴセルチブの有効性と安全性を評価するものである。

2021年3月29日、同社はトレアキシン®液剤「RTD製剤」の有効期間延長に関する承認申請について発表した。
（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社はトレアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」（Ready-To-Dilute：溶解不要で希釈するのみの製剤）について、有効期間を延長することを目的として、医薬品製造販売承認事項に係る一部変更承認申請を行った。

2021年3月25日、同社は再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ併用療法およびRTD製剤とリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチン併用療法に関する承認申請について発表した。
（RTD製剤とリツキシマブ併用療法に関するリンクは[こちら](#)、RTD製剤とリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチン併用療法に関するリンクは[こちら](#)）

同社は、トレアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」（Ready-To-Dilute：溶解不要で希釈するのみの製剤）について、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下、再発又は難治性DLBCL）を対象としたベンダムスチンとリツキシマブの併用療法（以下、BR療法）に関し、医薬品製造販売承認事項に係る一部変更承認申請を行った。これと同時に、同社はRTD製剤について、再発又は難治性DLBCLを対象としたベンダムスチンとリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチンとの併用療法に関し、医薬品製造販売承認事項に係る一部変更承認申請を行った。

2021年3月23日、同社は再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®、リツキシマブとポラツズマブ ベドチンとの併用療法についての承認取得に関して発表した。
（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®点滴静注用25 mg及び同点滴静注用100 mg」（凍結乾燥注射剤、一般名：ベンダムスチン塩酸塩）について、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下、再発又は難治性DLBCL）を対象としたベンダムスチン、リツキシマブとポラツズマブ ベドチンの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認を取得した。

また、ベンダムスチン、リツキシマブ（以下、BR療法）とポラツズマブ ベドチンの併用療法を検討した国内外の臨床試験を基に、中外製薬株式会社が、ポラツズマブ ベドチンについて再発又は難治性DLBCLを対象とした製造販売承認を同日で取得した。

後述の通り、BR療法については、同社が実施した再発又は難治性DLBCLを対象とした第3相試験で主要評価項目の奏効率において期待奏効率を上回る良好な結果が得られ、同日に製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得した。ポラツズマブ ベドチンの薬価収載・発売後、BR療法とポラツズマブ ベドチンとの併用において「トレアキシン®」の使用が可能となる。

今回の承認取得は、トリアキシン®凍結乾燥注射剤の再発又は難治性DLBCLに対するものである。トリアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」の再発又は難治性DLBCLに対する一部変更承認申請は今週中に実施の予定である。

同日、同社は再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトリアキシン®とリツキシマブ併用療法に関する承認取得に関して発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®点滴静注用25mg及び同点滴静注用100mg」（凍結乾燥注射剤、一般名：ベンダムスチン塩酸塩）について、リツキシマブとの併用療法（以下、BR療法）における再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下、再発又は難治性DLBCL）に対する効能・効果および用法・用量追加（ベンダムスチン塩酸塩として120mg/m²）に係る医薬品製造販売承認事項の一部変更の承認を取得した。

同承認は再発又は難治性DLBCLを対象とした第3相臨床試験の結果に基づくものである。BR療法は主要評価項目の奏効率において期待奏効率を上回る良好な結果が得られた。

同承認取得は、トリアキシン®凍結乾燥注射剤の再発又は難治性DLBCLに対するものである。トリアキシン®点滴静注液剤「RTD製剤」の再発又は難治性DLBCLに対する一部変更承認申請は2021年3月27日までに実施する予定である。

2021年3月11日、同社は、抗ウイルス薬ブリンシドフォビル注射剤（brincidofovir）による小児のアデノウイルス感染症を対象とした第2相臨床試験のINDの申請に関して発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、主に小児を対象としたアデノウイルス感染症に対する抗ウイルス薬ブリンシドフォビル注射剤に関する第2相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にInvestigational New Drug（IND）Application（治験許可申請）を行った。

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）		20年12月期				21年12月期				21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	551	1,361	2,333	2,987	1,420					15.5%	9,151
前年比	-65.8%	-32.1%	16.2%	5.3%	157.6%						206.4%
売上総利益	128	330	611	867	1,010						
前年比	-79.0%	-37.7%	8.5%	0.2%	690.9%						
売上総利益率	23.2%	24.2%	26.2%	29.0%	71.1%						
販管費	1,090	2,170	3,753	5,373	1,221						
前年比	-9.6%	-14.7%	-8.4%	4.0%	12.0%						
売上高販管費比率	197.6%	159.5%	160.9%	179.9%	85.9%						
営業利益	-962	-1,840	-3,142	-4,506	-211					-	1,361
前年比	-	-	-	-	-						-
営業利益率	-	-	-	-	-						14.9%
経常利益	-991	-1,883	-3,221	-4,616	-209					-	1,350
前年比	-	-	-	-	-						-
経常利益率	-	-	-	-	-						14.8%
四半期純利益	-992	-1,885	-2,694	-4,090	-210					-	1,149
前年比	-	-	-	-	-						-
四半期純利益率	-	-	-	-	-						12.6%

四半期業績推移 （百万円）		20年12月期				21年12月期					
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q			
売上高	551	809	972	654	1,420						
前年比	-65.8%	105.7%	-	-21.1%	157.6%						
売上総利益	128	202	281	256	1,010						
前年比	-79.0%	-	738.4%	-15.2%	690.9%						
売上総利益率	23.2%	25.0%	28.9%	39.1%	71.1%						
販管費	1,090	1,080	1,583	1,620	1,221						
前年比	-9.6%	-19.4%	1.8%	51.8%	12.0%						
売上高販管費比率	197.6%	133.5%	162.9%	247.5%	85.9%						
営業利益	-962	-878	-1,302	-1,364	-211						
前年比	-	-	-	-	-						
営業利益率	-	-	-	-	-						
経常利益	-991	-892	-1,338	-1,395	-209						
前年比	-	-	-	-	-						
経常利益率	-	-	-	-	-						
四半期純利益	-992	-893	-809	-1,396	-210						
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。

*前年同期比が1000%を超える場合は、“-”と表示している。

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）		20年12月期				21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	1,090	2,170	3,753	5,373	1,221				
前年比	-9.6%	-14.7%	-8.4%	4.0%	12.0%				
研究開発費	438	834	1,745	2,267	473				
前年比	-7.1%	-13.4%	-11.5%	-7.2%	8.0%				
研究開発費を除く販管費	651	1,336	2,008	3,107	747				
前年比	-11.1%	-15.5%	-5.6%	14.0%	14.7%				

四半期業績推移 （百万円）		20年12月期				21年12月期			
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	
販売費及び一般管理費	1,090	1,080	1,583	1,620	1,221				
前年比	-9.6%	-19.4%	1.8%	51.8%	12.0%				
研究開発費	438	396	911	522	473				
前年比	-7.1%	-19.4%	-9.7%	11.0%	8.0%				
研究開発費を除く販管費	651	685	672	1,098	747				
前年比	-11.1%	-19.3%	23.2%	83.9%	14.7%				

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。

2021年12月期第1四半期実績

- ▷ 売上高：1,420百万円（前年同期比157.6%増）
- ▷ 営業損失：211百万円（前年同期は962百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：209百万円（前年同期は991百万円の経常損失）
- ▷ 四半期純損失：210百万円（前年同期は992百万円の四半期純損失）

売上高は1,420百万円と前年同期比で157.6%増収となった。エーザイ社から自社販売に移行した事等により売上高が増加した。同社とエーザイ株式会社との間で締結したトリアキシン®に関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。これにより、同社の出荷先はエーザイから医薬品卸業者になり、同社は、従来から得ていた売上総利益（同社からエーザイへの売上高と原価の差）に加え、2020年12月9日までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイから医薬品卸業者へ出荷額とエーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することとなった。

2020年末からの新型コロナ感染拡大による治療の遅延、施設訪問の規制強化が営業活動の制約となったこと等一部に悪化要因があったが、自社販売に移行する2020年12月以前にエーザイ社が販売したトリアキシン®凍結乾燥注射剤の市中在庫が消化された影響を考慮すると、当第1四半期のトリアキシン®の需要は堅調に推移した。

当第2四半期に関しては、当初自販化前に流通した市中在庫消化の影響は残るものの、販売全体への影響は軽微であり、2020年3月23日に承認となったr/r DLBCLの適応追加による売上増加を見込むとしている。

売上総利益は1,010百万円（前年同期比690.9%増）、売上総利益率は71.1%（前年同期比47.9ポイント上昇）となった。売上総利益率の上昇理由は、自社販売への移行および2021年1月よりトリアキシン®RTD製剤の販売を開始したことによる。なお、当第1四半期において、トリアキシン®凍結乾燥剤の売上高がトリアキシン®RTD製剤の売上高を上回ったという。

自社販売による売上総利益率上昇の理由：2020年12月10日からトリアキシン®の販売が、エーザイへの委託から自社販売に切り替わったことで、同社の出荷先はエーザイから医薬品卸業者が変わった。これにより同社は、従来から得ていた売上総利益（同社からエーザイへの売上高と原価の差）に加え、2020年12月9日までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイから医薬品卸業者へ出荷額とエーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することになる。

トリアキシン®凍結乾燥剤からトリアキシン®RTD製剤への切り替えによる利益率の上昇：同社はトリアキシン®凍結乾燥剤をアステラス ドイツランド社より仕入れているが、トリアキシン®の液剤（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。同社によればトリアキシン®の液剤の売上総利益率はトリアキシン®凍結乾燥剤より高いという。

販売費一般管理費の増加はあったが、増収効果によって営業損益以下の各損益で損失が縮小した。販売費及び一般管理費は、1,221百万円（前年同期比12.0%増）となった。

- ▷ 研究開発費は473百万円（同8.0%増）となった。トリアキシン®の注射剤およびプリンシドフォビルの注射剤の臨床試験費用が発生した。
- ▷ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は747百万円（同14.7%増）となった。自社販売体制への移行による販売費の増加などがあった。今期会社予想の販売費及び一般管理費（研究開発費を除く）3,577百万円（前期比15.1%増）にを下回る費用消化となった。営業活動のオンライン化などにより、費用が抑制された。

事業の進捗概況

2021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。

- ▷ 2021年6月、抗ウイルス薬プリンシドフォビルのライセンサーであるキメリックス社は、米国食品医薬品局（FDA）から、天然痘の治療薬として、抗ウイルス薬プリンシドフォビルの錠剤および経口剤の承認を取得した。
- ▷ 2021年5月、トレアキシン®液剤「RI（急速静注）投与」に関する承認申請を行った。
- ▷ 2021年4月、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ併用療法、およびトレアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチン併用療法に関する承認を取得した。
- ▷ 2021年3月、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®とリツキシマブ併用療法、およびトレアキシン®、リツキシマブとポラツズマブ ベドチンとの併用療法についての承認を取得した。
- ▷ 2021年3月、抗ウイルス薬プリンシドフォビル注射剤（brincidofovir）による小児のアデノウイルス感染症を対象とした第2相臨床試験のINDの申請を行った。
- ▷ 2021年1月、トレアキシン液剤「RTD製剤」を発売した。

国内

自社販売体制の構築について

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月に満了にともない、2020年12月には自社によるトレアキシン®販売体制へ移行した。

同社はこれまで、地域のニーズに合致した提案を企画し、高い生産性をもつ営業組織体制を確立するため、医薬情報担当者を全国に配置するとともに、「ヘマトロジー・エキスパート」を各地域に設置した。また、エーザイとの事業提携契約の満了に伴い、全国流通体制を確立するため株式会社スズケンおよび東邦薬品株式会社との間で2社を総代理店とする医薬品売買に関する取引基本契約の締結した。全国物流体制の構築については、株式会社エス・ディ・コラボとの取引を開始し、東日本と西日本の2拠点に物流センターを設置した。

当第1四半期においては、2021年1月より、2020年9月に製造販売承認を取得したトレアキシン®点滴静注液剤（RTD（Ready-To-Dilute）製剤）の販売を開始した。

2021年3月23日には、トレアキシン®凍結乾燥注射剤について、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下r/r DLBCL）を対象としたベンダムスチンとリツキシマブの併用療法（以下、BR療法）、およびベンダムスチンとリツキシマブ、ポラツズマブ ベドチンとの併用療法（以下、P-BR療法）の製造販売承認事項一部変更承認（一変承認）を取得した。BR療法（ベンダムスチン塩酸塩として120mg/m²）に関しては直ちに使用が可能となり、P-BR療法（ベンダムスチン塩酸塩として90mg/m²）については、ポラツズマブベドチンが薬価収載（2021年5月に薬価収載済み）され次第、ポラツズマブベドチンとBR療法との併用においてトレアキシン®凍結乾燥注射剤の使用が可能となる。

2021年4月28日には、トレアキシン®RTD製剤について、r/r DLBCLを対象としたBR療法及びP-BR療法の一変承認を取得した。

製品の安定供給について

同社は2021年1月よりトレアキシン®RTD製剤の製造販売を開始し、トレアキシン®液剤RTD製剤とトレアキシン®凍結乾燥注射剤の両剤形を販売している。

トリアキシン®凍結乾燥注射剤は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社から、トリアキシン®RTD製剤はイーグル・ファーマシューティカルズ社（以下、イーグル社）から輸入している。当第1四半期においては、輸入したバッチの二次包装と品質検査を計画通りに実行し、その結果、品質的には安定しており、2021年5月時点の在庫は製品を安定的に供給し得る適正レベルを維持している。

供給面では、トリアキシン®凍結乾燥注射剤からトリアキシン®RTD製剤への切り替えを、2021年末の切替率91%を目標に進める。

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）（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）およびマンツル細胞リンパ腫（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NHLおよび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、悪性リンパ腫領域において使用されている。

2018年7月に日本血液学会が発行した造血器腫瘍診療ガイドラインに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トリアキシン®が位置づけられた。

また、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抗体製剤との併用に係わる一部変更の承認取得（2018年7月）により、オピヌツズマブとの併用療法が治療選択肢として提供されている。これに加え、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取得（2019年3月）により、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」の前処置としてトリアキシン®の使用が可能となった。再生医療等製品の前処置としての使用方法の広がりによって、悪性リンパ腫における標準療法としてのトリアキシン®の位置づけは強固なものとなっている。

既に承認を取得した上記の適応症に続き、r/r DLBCLのBR療法による第III相臨床試験については、2020年5月に一変承認申請を行い、2021年3月に承認を取得した。2021年4月には、トリアキシン®RTD製剤について、r/r DLBCLを対象としたBR療法およびP-BR療法の一変承認を取得した。ベンダムスチン®とリツキシマブを併用投与した時の生存時間データ（全生存期間、無増悪生存期間など）を評価することは、同剤のDLBCL治療における位置付けに重要なデータとなるため、全生存期間を主要評価項目とする追跡調査試験を実施し、試験結果を公表準備中である。また、中外製薬株式会社（以下、中外）がr/r DLBCLを対象としたポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用について、2020年6月に製造販売承認申請を行ったことを受け、2020年7月、同社はトリアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する一変承認申請を行い、2021年3月に承認を取得した。同社および中外の承認取得により、ポラツズマブ ベドチンが薬価収載され次第、ポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用においてトリアキシン®の使用が可能となる。この追加適応症については、現在有効な治療方法がないため、救済化学療法として複数の抗がん剤を組み合わせた多剤併用療法が使われているが、高い有効性と安全性が期待できる新たな治療薬の開発が望まれている。またBR療法については、すでに欧米においてr/r DLBCLの患者の治療に使われており、日本においても早期に使えるよう患者団体および関係学会から厚生労働省に対して要望書が提出された。

2017年9月にイーグル社との間でトリアキシン®RTD製剤および投与時間を短縮可能とする投与（RI（Rapid Infusion）投与）の日本における独占的ライセンス契約を締結した。RTD製剤については2020年9月に製造販売に関する承認を取得し、2021年1月に販売を開始した。RI投与については安全性に関する臨床試験が終了し、2021年5月に承認申請を完了した。RTD製剤は、従来の凍結乾燥注射剤に比べて、手動による煩雑な溶解作業が不要で、そのために要する時間を短縮するこ

とができ、医療従事者の負担軽減が可能となる。RI製剤は、投与時間が、従来の凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分に対して投与時間が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が可能となることから、大きな付加価値を提供することができる。また、液剤の製剤ライセンスによる複数の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、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髓異形成症候群（高リスクMDS）における全生存期間を主要評価項目として、全世界から20カ国以上が参加している国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）を実施した。オンコノバ社は、2020年8月に医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験の追加解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。

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、リゴセルチブ経口剤とアザシチジンを併用した際の有効性及び安全性が示唆されている。同社はリゴセルチブ経口剤の初回治療の高リスクMDSを目標効能として、単剤により高用量の安全性および日本人での忍容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、2019年6月に症例登録を完了した。

抗ウイルス薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（ブリンシドフォビル））
同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの注射剤および経口剤（SyB V-1901、以下それぞれ「BCV IV」および「BCV Oral」）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたBCVの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。

「空白の治療領域」でアンメット・メディカル・ニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本・アメリカ・ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を優先的に進めることを同社は決定した。2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にInvestigational New Drug（IND）Application（治験許可申請）を行った。この開発プログラムについては、2021年4月に、米国食品医薬品局からファスト・トラック（Fast track）指定を受けた。

同社は、アデノウイルス感染症（AdV）を対象とする試験により得られた有効性及び安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種dsDNAウイルス感染症に対する効果を検討するとしている。抗マルチウイルス感染症へ対象領域を拡大し、腎臓移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することで、市場の拡大とBCVの事業価値の最大化を目指す。同剤は既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてBCV Oralが高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されており、各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性は、BCV IVに関しても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防および治療に対する有効性及び安全性が期待される。

キメリックス社は、2021年6月、米国食品医薬品局（FDA）から、天然痘の治療薬として成人および新生児を含む小児の患者を対象に、抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの錠剤および経口剤の承認を取得した。

海外

SyB L-0501については、中国、香港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。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル開発計画の推進に当面は注力するものの、常時複数のライセンス案件の検討と新薬開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を継続的に実施する。

過去の四半期実績と通期実績の説明は、「過去の業績」の頁を参照

今期会社予想

(百万円)	20年12月期		21年12月期	
	上期実績	下期実績	通期実績	通期会予
売上高	1,361	1,626	2,987	9,151
売上総利益	330	537	867	6,957
売上総利益率	24.2%	33.0%	29.0%	76.0%
販売費及び一般管理費	2,170	3,203	5,373	5,596
売上高販管費比率	159.5%	197.0%	179.9%	61.2%
研究開発費	834	1,433	2,267	2,019
研究開発費を除く販管費	1,336	1,770	3,107	3,577
営業利益	-1,840	-2,666	-4,506	1,361
営業利益率	-	-	-	14.9%
経常利益	-1,883	-2,733	-4,616	1,350
経常利益率	-	-	-	14.8%
当期純利益	-1,885	-2,205	-4,090	1,149
純利益率	-	-	-	12.6%

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。

業績予想

2021年12月期通期会社予想は、売上高9,151百万円（前期比206.4%増）、営業利益1,361百万円（前期は営業損失4,506百万円）、経常利益1,350百万円（前期は経常損失4,616百万円）、当期純利益1,149百万円（前期は当期純損失4,090百万円）を見込む。

▷ 売上高では、自社販売への移行および再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を適応症とするトレアキシシン®の承認取得・販売開始によってトレアキシシン®の国内の製品売上が増加する見通しである。

➢ 自社販売への移行による売上高の増加：同社とエーザイ株式会社との間で締結したトレアキシシン®に関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。これにより、同社の出荷先はエーザイから医薬品卸業者が変わり、同社は、従来から得ていた売上総利益（同社からエーザイへの売上高と原価の差）に加え、2020年12月9日までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイから医薬品卸業者へ出荷額とエーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することになる。自社販売移行後は、2020年12月9日以前においてエーザイが得ていた売上総利益分が同社の売上高として増加することとなる。

➢ 再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を適応症とするトレアキシシン®の承認取得・販売開始：DLBCLを適応症とするトレアキシシン®は薬価ベース売上高で2,600百万円を目標とする。

▷ 損益面では、営業利益以下の各利益において増収効果による黒字化を見込む。

▷ 売上総利益は6,957百万円（前期比702.6%増）、売上総利益率は76.0%（同47ポイント上昇）を見込む。売上総利益の増加は売上高の増加と売上総利益率の上昇による。売上総利益率の上昇理由は、自社販売への移行およびトレアキシシン®RTD製剤への切り替えによる。

➢ 自社販売への移行による利益率の上昇：上述の通り、2020年12月10日の自社販売移行により、同社は、従来から得ていた売上総利益に加え、2020年12月9日までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイから医薬品卸業者へ出荷額とエーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することになる。2020年12月9日以前において、同社はトレアキシシン®凍結乾燥剤をエーザイ向けに売上総利益率30%程度で販売していたが、2021年12月10日以降は、自社販売に切り替わることで、同剤の売上総利益率が70%程度になるとSR社は理解している。

➢ トレアキシシン®凍結乾燥剤からトレアキシシン®RTD製剤への切り替えによる利益率の上昇：同社はトレアキシシン®凍結乾燥剤をアステラス ドイッチランド社より仕入れているが、トレアキシシン®の液剤（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。同社によればトレアキシシン®の液剤の売上総利益率はトレアキシシン®凍結乾燥剤より高くなる予定であるという。後述の通り、トレアキシシン®凍結乾燥品からトレアキシシン®RTD製剤への切り替えを2021年末には91%まで進める予定である。

- ▷ 販売費及び一般管理費は5,596万円（前期比4.1%増）の見込みである。
 - 研究開発は2,019百万円（同10.9%減）を計画している。トレアキシン®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）およびトレアキシン®液剤、リゴセルチブ、これら従来の開発品に加えて抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの開発を進める。前期はトレアキシン®RTD製剤の承認取得に伴うマイルストーン支払い（約500百万円）を含むが、今期はマイルストンの支払いを予定していない。
 - 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は3,577百万円（同15.1%増）を予定している。2021年12月期の収益化とその後の収益の持続的拡大を図るべく自社販売体制の確立およびグローバル事業展開の準備についても進める。

パイプラインの主な開発計画は以下の通りである。

トレアキシン®

2021年12月期において、トレアキシン®の薬価ベース売上高は11,300百万円（前期は薬価ベース売上高約8,000百万円）を目標とする。

- ▷ 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®は薬価ベース売上高4,100百万円を目標とする。また、その他の適応症の薬価ベース売上高合計の目標を4,600百万円とする。
- ▷ 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）を適応症とするトレアキシン®については2020年5月に承認申請をおこなった。2021年12月期第2四半期に承認取得、販売開始を予定している。DLBCLを適応症とするトレアキシン®は薬価ベース売上高で2,600百万円を目標とする。
- ▷ 製品ライフサイクルの延長：RTD製剤を2021年第1四半期に発売し、凍結乾燥品から液剤への切り替えを2021年末には91%まで進める。RI製剤は2022年12月期上期の販売開始を計画している。

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、導入元であるオンコノバ社は、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）を対象とするリゴセルチブ注射剤の国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）において、主要評価項目を達成しなかったことを2020年8月に発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験のゲノム解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。

抗ウイルス薬ブリンシドフォビル

ブリンシドフォビル注射剤（BCV IV）については、2020年2月に開催したグローバルアドバイザリーボードでの検討の結果、「空白の治療領域」でアンメット・メディカル・ニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を優先的に進めることを決定した。2021年2月現在、小児のブリンシドフォビル液剤の用量設定の試験開始に向けて、準備を進める。

中長期見通し

中期経営計画（2021年12月期から2023年12月期）

同社は2020年12月期決算発表時に、2021年12月期から2023年12月期までの3期間の中期経営計画を発表した。

中期経営計画の業績目標

(百万円)	20年12月期 実績	21年12月期 会予	22年12月期 目標	23年12月期 目標
売上高	2,987	9,151	10,985	12,369
前年比	5.3%	206.4%	20.0%	12.6%
営業利益	-4,506	1,361	1,738	2,099
前年比	-	-	27.7%	20.8%
利益率	-	14.9%	15.8%	17.0%
経常利益	-4,616	1,350	1,727	2,088
前年比	-	-	27.9%	20.9%
利益率	-	14.8%	15.7%	16.9%
当期純利益	-4,090	1,149	1,470	1,778
前年比	-	-	27.9%	21.0%
利益率	-	12.6%	13.4%	14.4%

出所：同社資料をもとにSR社作成

中期経営計画（2021年12月期から2023年12月期）の業績目標

売上高

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、中期経営計画期間の売上成長率を見直した結果を計上した。
- ▷ 2020年12月期まで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たが、2021年12月期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する。
- ▷ 2021年12月期以降の売上高の算定において、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）の適応追加によるトレアキシン®の製品売上の拡大を想定し、目標数値を開示した。

自社販売体制への移行

2020年12月期まで、同社はトレアキシン®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月期から同社はトレアキシン®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。

エーザイの資料によれば、2020年3月期における日本のトレアキシン®の売上収益は7,700百万円であった。それに対して、同社の2019年12月期の商品売上高は2,811百万円であった。エーザイと同社の決算期間は3ヵ月ずれていること、同社の商品売上高には海外売上高も含むこと、エーザイ内の仕入と販売のタイミングという違いはあるが、概括的には、エーザイの売上高と同社の売上高の差がエーザイの売上総利益であったと解釈することができる。同社による自社販売開始後は、このエーザイが得ていた売上総利益も同社の売上総利益になるとSR社は理解している。

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レアキシン®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12月期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レアキシン®を販売開始する予定であり、2021年12月期以降のトレアキシン®製品売上の拡大を見込んでいる。2022年12月期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・マント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ト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レアキシン®の薬価ベースの2019年12月期売上高目標は10,100百万円であった。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。

2021年12月期において、トレアキシン®の薬価ベース売上高は11,300百万円（前期は薬価ベース売上高約8,000百万円）を計画している。内訳は、承認済み適応症の売上高（薬価ベース）で8,700百万円、DLBCLを適応症とするトレアキシン®の売上高（薬価ベース）で2,600百万円である。

DLBCLを適応症とするトレアキシン®は、2021年12月期の期中から業績貢献する見通しである。2022年12月期および2023年12月期はDLBCLを適応症とするトレアキシン®の業績が通年で寄与すること、加えて市場浸透率の上昇を見込むことから、売上高が増加する計画としている。

中期経営計画における売上総利益のイメージ

2021年12月期会社予想において、同社は売上総利益率が76.0%（前期比47ポイント上昇）に上昇すると予想している。これは、自社販売への移行およびトレアキシン®RTD製剤への切り替えによる。中期経営計画期間では、トレアキシン®液剤への切り替えが進むことで、売上総利益率が徐々に上昇する計画となっている。

- ▷ 過去の同社の業績推移から、2020年12月9日以前において、同社はエーザイ向けに30%程度の売上総利益率でトレアキシン®を出荷していたとSR社は理解している。上述の通り、2021年12月10日、トレアキシン®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70%程度になると推測している。
- ▷ トレアキシン®の仕入先の変更によって、売上総利益率が上昇する見込みである。同社はトレアキシン®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、トレアキシン®の液剤（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。同社によればトレアキシン®の液剤の売上総利益率はトレアキシン®凍結乾燥剤より高くなる予定であるという。同社はトレアキシン®凍結乾燥品からトレアキシン®RTD製剤への切り替えを2021年末には91%まで、2022年末には95%まで進める計画である。

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、徐々に増加する計画としている。マイルストーン支払いや臨床試験の費用が増加する予定である。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、トレアキシシ[®]およびリゴセルチブ、抗ウイルス薬プリンシドフォビル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た費用である。
 - 2021年12月期の研究開発は2,019百万円（前期比10.9%減）の見込みである。2020年12月期はトレアキシシ[®]RTD製剤の承認取得に伴うマイルストーン支払い（約500百万円）があったが、2021年12月期はマイルストンの支払いを予定していない。
 - 2022年12月期および2023年12月期は、トレアキシシ[®]RTD製剤および抗ウイルス薬プリンシドフォビルのマイルストーン支払いを予定している。また、2022年12月期から抗ウイルス薬プリンシドフォビルの臨床試験費用が増加する見込みである。
- ▷ 抗ウイルス薬プリンシドフォビルに続く、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に関する一時金等の費用は想定していない。
- ▷ その他販売費及び一般管理費については、主としてトレアキシシ[®]の営業、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12月期からのトレアキシシ[®]の自社販売体制の運営に係わる費用を想定している。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。2021年12月期の研究開発費を除く販売費及び一般管理費は3,577百万円（同15.1%増）を予定している。販売促進などの費用が増加する計画である。2022年12月期以降は、自社販売体制を構築済みであり、大きな費用の増加は見込んでいないという。

当期純利益

当期純利益は、2020年2月に公表した前中期経営計画においては、2021年12月期以降に繰越欠損金等の解消が進むことの影響額を税効果会計に反映し、2021年12月期と2022年12月期において経常利益を上回る当期純利益を計上した。新たな中期経営計画においては、会計監査人の見解も踏まえ、2021年12月期以降の法人税等調整額の要素を除外して計画を策定した。

人員計画

人員計画については、2020年12月期に62名から成る全国営業組織の構築を完了した。それ以外の組織においては必要な人員配置を計画し、そのための人件費を計上している。抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル展開に伴う増員を計画し人件費に反映した。

資金計画

資金計画については、将来の事業展開に応じた資金需要に対して柔軟かつ機動的に対応できるよう、財務基盤の強化に努める。

2021年12月期以降は当期純利益が黒字化することで、株式発行による資金調達が必要なくなるとSR社は考えている。また、同社は、2020年12月に機動的な資金調達体制を構築することを目的として、株式会社三菱UFJ銀行をアレンジャー兼エージェントとするシンジケート・ローン（コミットメントライン）契約3,000百万円を締結した。

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・希少疾患領域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号開発品トレアキシシン®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、国際共同第Ⅲ相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）はトレアキシシン®（凍結乾燥注射剤）、トレアキシシン®RTD製剤及びRI製剤、リゴセルチブ注射剤及び経口剤、プリンシドフォビル

トレアキシシン®の適応症追加

トレアキシシン®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、トレアキシシン®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タル細胞リンパ腫、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タ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タル細胞リンパ腫：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

2021年2月現在、同剤の4つ目の適応症である再発・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相臨床試験を実施し、2019年11月に試験成績の主要評価項目である奏効率において期待奏効率を上回る結果となった。同社は同適応症について、2020年5月に製造販売承認申請を行っており、2021年12月期上期の承認取得を見込んでいる。

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。その対策として、同社は2020年12月期に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、2020年9月にトリアキシン®RTD製剤の製造販売承認を取得、2021年1月からトリアキシン®RTD製剤販売を開始した。

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。

オンコノバ社は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ヵ国以上が参加）を行った。オンコノバ社は、2020年8月に医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。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た。同社は、国際共同第III相試験の追加解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進めるという。

リゴセルチブ（経口剤）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、リゴセルチブ経口剤とアザシチジンを併用した際の有効性および安全性が示唆されている。国内では、同社単剤での第I相臨床試験を2017年6月に開始し、2019年6月に症例登録を完了した。

プリンシドフォビル

プリンシドフォビルは、シドフォビル（cidofovir：欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、国内では未承認）に特定の長さの脂肪鎖（ヘキサデシルオキシプロピル：HDP）を結合させた抗ウイルス薬である。脂質結合体として新しい作用機序を持ち、シドフォビルと比べて細胞内への取り込み効率が向上し（細胞膜透過性を高め）ている。プリンシドフォビルは細胞内で直接作用する分子に変換され、ウイルスの複製を阻害し、高い抗ウイルス効果を発揮するなどの画期性を有す

る。加えて、シドフォビルの副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない高活性の抗マルチウイルス薬である。広範囲のDNAウイルス感染症（サイトメガロウイルス（CMV）等のヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得るという。

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間でプリンシドフォビルに関する独占的グローバルライセンス契約を締結した。これにより、天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたプリンシドフォビルの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利を取得した。2021年2月現在、小児のアデノウイルス感染症を対象としたプリンシドフォビル液剤の用量設定の試験開始に向けて、準備を進めている。

収入源はトレアキシン®の製品売上

同社の主な収益源はトレアキシン®の製品売上高である。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、トレアキシン®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）。

2021年12月期会社予想では、営業利益1,361百万円（前期は4,506百万円の営業損失）、当期純利益1,149百万円（前期は4,090百万円の当期純損失）を見込む。2020年12月にトレアキシン®の自社販売を開始したこと、2021年1月にトレアキシン®「RTD製剤の販売を開始したことに加え、2021年12月期中に再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とするトレアキシン®の追加適応承認取得を計画している。これらの要因により、売上高の増加、売上総利益率の上昇を見込んでおり、2021年12月期の営業利益黒字化を予想している。

中期経営計画（2021年12月期～2023年12月期）において、2023年12月期には営業利益2,099百万円を見込んでおり、中期的にも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。

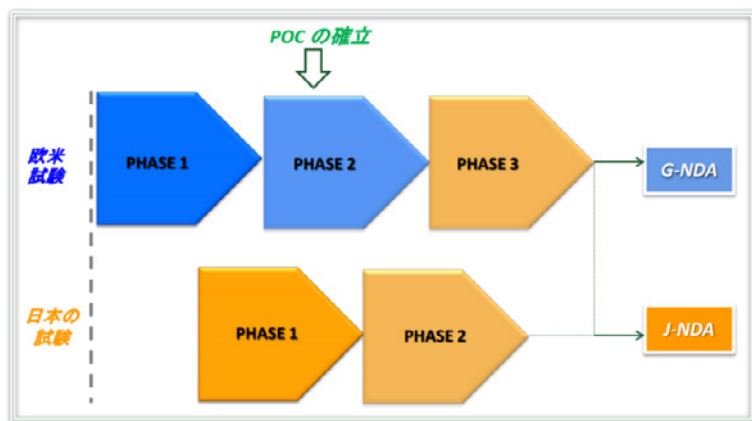
独自の新薬開発体制により、高確率、迅速な創薬を目指している。具体的には、基礎研究を行わず、ヒトでの臨床試験が行われている新薬候補物を導入し、臨床開発を行うことで、5～6年以内での承認取得・上市を目指す。また、独自に新薬候補品の情報を収集し、社内の専門家による絞り込みに加え、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB）による評価を受けることで、高確率での新薬承認を目指している。

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、以下の通り、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が、動物もしくはヒトに投与することによって認められること）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、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

同社は候補品の中から、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、2021年2月現在、同社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[®] RI製剤の承認申請準備を進めている。また、骨髓異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブの注射剤および経口剤、抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発が進行中である。

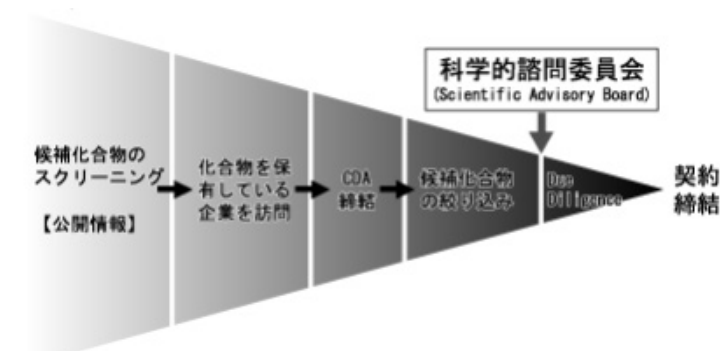
サイエンティフィック・アドバイザー・ボード（SAB）

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

同社における候補品の絞り込みプロセス



出所：同社資料

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、トレアキシン®の国内販売は2020年12月9日まではエーザイ株式会社が行っていた。2020年12月10日から同社が自社販売を開始した。

ニッチ市場戦略：がん・血液・希少疾患領域に特化

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・希少疾患領域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号開発品であるトレアキシン®は、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した。また、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、トレアキシン®が未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫に対する標準的治療の選択肢として収載された。

グローバル展開戦略

同社は、トレアキシン®、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。また、プリンシドフォビルに関しては、世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利を取得している。

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）	自社販売
		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））	承認申請中	
		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・独占的 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	承認取得 （2020年9月）	自社販売
トレアキシン SyB L-1702 （RI製剤）	日本	全適応症	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 追加解析実施中	—
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）	国際共同第Ⅰ/Ⅱ相試験完了	—
プリンシドフォビル （注射剤） SyB V-1901	世界全域	造血幹細胞移植後のアデノウ イルス感染症	第Ⅱ相臨床試験開始準備中	—

出所：会社資料よりSR社作成

2021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完了（2019年4月）。2020年5月に承認申請。2021年12月期に承認を取得し、販売を開始する予定である。
- ▷ トレアキシンについて、急速静注であるRI製剤の臨床試験：2018年11月に臨床試験開始。2021年12月期中に承認申請を行い、2022年12月期に販売を開始する予定である。

- ▷ 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 追加解析実施中
- ▷ 高リスクMDSを適応症とするリゴセルチブ経口剤：2019年6月に第I相臨床試験症例登録完了、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I/II相試験完了
- ▷ 抗ウイルス薬プリンシドフォビル：小児のアデノウイルス感染症を対象としたプリンシドフォビル（液剤）の第II相臨床試験開始に向け準備を進めている。

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ト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トル細胞リンパ腫に対する効能追加の承認を取得した。2021年2月現在、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、2020年5月期に適応症追加に向けた承認申請を行った。

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、リンパ節に腫瘍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、腫瘍により気道や血管、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 症例数（件）	5年相対生存率（%）	非ホジキンリンパ腫 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（病期）の程度を表す臨床病期などによ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。

トレアキシン®はアステラスから導入、エーザイと国内共同開発、2020年12月から自社で販売

同社は、トレアキシン®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、日本におけるトレアキシン®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）。なお、エーザイとの事業提携契約は2020年12月9日に満了した。2020年12月10日からトレアキシン®の国内販売については同社の自社販売に移行した。

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レアキシン®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トル細胞リンパ腫を対象に承認取得

同社は、2005年12月のトレアキシン®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ト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ト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。

トレアキシン®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トル細胞リンパ腫、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、トレアキシン®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トル細胞リンパ腫、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、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、2020年5月に適応症追加に向けた承認申請を行った。

トレアキシン®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		慢性リンパ性白血病
		低悪性度B細胞性	中高悪性度	
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Ⅲ相臨床試験 症例登録完了	
	開発状況	2010年10月 国内承認取得	2020年5月申請	

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トル細胞リンパ腫を適応症とするトレアキシン®

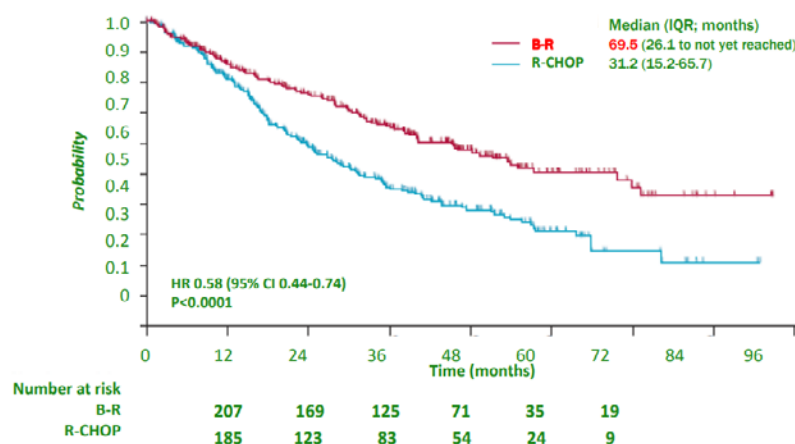
同社によれば、2016年12月以前において、国内では、未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫に対し、リツキシマブとCHOP（シクロスファミド、ドキソルビシン（ヒドロキシダウノマイシン）、ビンクリスチン（オンコビン）、プレドニゾロン）等の化学療法との併用（CHOP-R）が標準的な治療として用いられていた。同社は2016年12月にトレアキシン®について、未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫の適応症追加承認を取得した。その後、2018年7月に日本血液学会が編集し発行した「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」において、トレアキシン®が未治療の低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

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ン®（ベンダムスチン塩酸塩）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、リツキシマブとトレアキシン®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ト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レアキシン®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ヵ月で、無増悪生存期間（PFS）中央値はB-R群69.5ヵ月に対し、CHOP-R群31.2ヵ月（ $p < 0.0001$ ）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ンの承認を取得

同社は、トレアキ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ンの国内製造販売承認を取得した。前述の通り、CHOP-R療法と比較したB-R療法の有効性、「造血管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収載などが、CHOP-R療法から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ンの承認

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ンの承認を取得

国内においては、同社は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レアキシン®

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、治癒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：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レアキシン®の承認申請

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相臨床試験の結果

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レアキシン®とリツキシマブ併用（BR療法）の第III相試験の実施に至った。同試験の目的は、BR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、2019年4月に60症例の患者登録を完了した。2021年2月に第18回日本臨床腫瘍学会学術集会にて同試験の結果（主な有効性評価結果（38症例））を以下の通り発表した。

▷ 奏効率（CR+PR）：76.3%

▷ 完全寛解率（CR）：47.4%

▷ 全生存期間の中央値：29.2ヵ月

※CR（Complete Response）：完全に腫瘍が消失している。完全奏効ともいう。

※PR（Partial Response）：腫瘍が全体の30%以上消失した状態。部分奏効ともいう。

同社はこの結果をもとに、2020年5月に再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたペンダムスチンとリツキシマブの併用療法を可能にする製造販売承認申請を行った。同適応症について、2021年12月期に承認を取得し、販売を開始する計画である。

トレアキシン®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を対象とするトレアキシン®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、トレアキシン®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：トレアキシン®）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：トレアキシン®）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。同契約に基づき、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レアキシン®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

従来のトレアキシン®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担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。

トレアキシン®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

トレアキシン®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レアキシン®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レアキシン®の再審査期間が終了した後も、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、トレアキシン®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。

先発医薬品を開発した会社は、特許、再審査によってその権利と利益が守られている。具体的には、開発してから、特許権の存続期間満了まで（原則20年、最大25年）、他の会社は同じ成分のくすりを作ることができない。また、先発医薬品の場合、製造販売承認後、原則6年間（最大10年間）の再審査期間が設けられており、この期間内は仮に先発医薬品の特許が切れていても、ジェネリック医薬品（後発医薬品）の申請をすることができない。

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9月に承認取得、RI製剤は承認申請準備中

ベンダムスチン塩酸塩のRTD製剤については、2020年9月に承認を取得し、2021年1月に国内販売を開始した。RI製剤については、2021年2月現在、承認申請の準備中である。

RI製剤は、従来型の凍結乾燥注射剤のトレアキシン®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®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った。

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実施。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）により米国および欧州において、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。

リゴセルチブは、がん関連遺伝子産物であるRas遺伝子の作用を阻害することにより、PI3K（phosphatidylinositol 3-kinase）など複数のキナーゼ（リン酸化酵素）の作用を妨げ、がんの生存や増殖に必要な細胞内シグナルの伝達を抑制することで、がん細胞を死滅させる新たな作用機序を有する低分子の抗がん剤である。

PI3K経路は、がんにおいて様々な遺伝子変異の結果、この経路が恒常的に活性化し、がんの生存、分化、増殖に深く関わっているとされる。

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、バクスター社は、2012年9月に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、2021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ヵ国以上が参加）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。2020年8月にオンコノバ社は、国際共同第Ⅲ相臨床試験においてリゴセルチブ（注射剤）が主要評価項目を達成しなかったことを発表した。オンコノバ社はさらに追加解析を行っている。これに対して、同社は国際共同第Ⅲ相試験の追加解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進めるとしている。

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、リゴセルチブ経口剤とアザシチジンを併用した際の有効性及び安全性が示唆されている。同社は2017年6月にリゴセルチブ経口剤単剤の日本人での忍容性及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、2019年6月に症例登録を完了した。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			未定
	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	オンコノバ社が国際共同試験を検討中 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ビンが標準治療薬とされており、日本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ビン）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、2021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

再発・難治性の高リスクMDS患者を対象とした第III相臨床試験

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。

低メチル化剤による治療において効果が得られないまたは治療後に再発した高リスクMDS患者を対象とした第III相試験
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。

2020年8月、オンコノバ社は当該第III相臨床試験が、医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同試験の主要評価項目は全生存期間であり、リゴセルチブ点滴静注＋最善の支持療法と医師選択療法（PC）＋最善の支持療法を比較した。また、超高リスク（VHR-MDS）患者のサブグループについても、事前に規定された解析を行った。INSPIRE試験のintent-to-treat解析では、リゴセルチブ静注群の全生存期間は6.4ヵ月、PC群では6.3ヵ月（ $p=0.33$ ）であったことが明らかになった。VHR-MDSサブグループの全生存期間についても、両群間で有意差は認められなかった。オンコノバ社はさらに追加解析を行っている。

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。2016年7月に最初の患者登録を行い、2019年12月末時点で48症例が登録した（目標症例数は50症例）。同社は2020

年8月のオンコノバ社による第III相試験の主要評価項目未達の発表を踏まえ、国際共同第III相試験の追加解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進めるとしている。

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ヵ月間となり（アザシチジン単剤の場合、3.2ヵ月間）、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。

2021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、オンコノバ社が米国で実施した初回治療及び再発・難治性的高リスクMDSを対象とした第Ⅱ相臨床試験において設定された高用量の安全性を確認するために国内第Ⅰ相臨床試験を開始し、2019年6月に症例登録を完了した。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、オンコノバ社が実施を計画している国際共同試験に参加する予定である。同国際共同試験については2019年12月の第61回米国血液学会議で発表されたデータを基に未治療高リスクMDSを対象とした第Ⅱ/Ⅲ相アダプティブ臨床試験（Phase 2/3 adaptive trial）のデザインを検討中であることをオンコノバ社が2019年12月に発表した。

新規適応症の探索

2021年1月、同社は、東京大学医科学研究所との間で、ベンダムスチンおよびリゴセルチブの新規適応症の探索に関する共同研究契約を締結した。

同社は同契約に基づき、東大医科研附属先端医療研究センター細胞療法分野・北村俊雄教授と共同研究を行い、ベンダムスチン、リゴセルチブに関して、両化合物あるいは他の既存薬との併用により新たな有用性を見出すとともに、新規適応症の探索を行う。

北村俊雄教授との共同研究において、複数の腫瘍細胞等を用いてエピジェネティック制御の解析を行う。これにより、ベンダムスチン、リゴセルチブの従来認知されていた作用以外の薬理作用の検討、両化合物あるいは他の既存薬との組み合わせにより得られる薬理作用の解析を行う。

北村俊雄教授は、これまで白血病などの造血器腫瘍の研究と造血幹細胞分化の研究において研究業績と研究・臨床のネットワークを有している。また、これまで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や造血器腫瘍モデルを利用した新規治療法の開発に取り組んできた。同社は、これまで培った抗がん剤の早期承認取得の実績および経験を活かし、東京大学医科学研究所と共同して当該開発品の新規適応症の探索を進める。

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、2020年3月期におけるビダーザ®の売上高は15,652百万円（前期比8.3%増）であった。2021年3月期は同16,000百万円を予想している。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。

SyBV-1901（抗ウイルス薬プリンシドフォビル）

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス薬プリンシドフォビル（SyBV-1901）に関する独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたプリンシドフォビルの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。当該契約において、同社はキメリックス社に対して、契約一時金5百万ドル、将来的なマイルストーンとして180百万ドル、製品売上に応じたロイヤリティを支払うこととなっている。プリンシドフォビルについて、同社の従来のパイプラインと比較して、世界全域を対象としていること、開発・販売に加え、製造権も獲得していることが異なる。

同社によれば、キメリックス社はこれまでプリンシドフォビルを経口剤として開発していたが、第III相臨床試験に失敗して開発を中断していた。同社はプリンシドフォビル経口剤の失敗を腸管吸収率の低さと毒性による副作用が問題であったと判断し、注射剤で開発すればこれらの問題を回避できると考えた。キメリックス社が、がん領域に注力する方針であることもあり、今回の契約締結に至ったという。

プリンシドフォビルの作用機序および対象疾患

プリンシドフォビルは、シドフォビル（cidofovir：欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、国内では未承認）に特定の長さの脂肪鎖（ヘキサデシルオキシプロピル：HDP）を結合させた抗ウイルス薬である。脂質結合体として新しい作用機序を持ち、シドフォビルと比べて細胞内への取り込み効率が向上し（細胞膜透過性を高め）ている。プリンシドフォビルは細胞内で直接作用する分子に変換され、ウイルスの複製を阻害し、高い抗ウイルス効果を発揮するなどの画期性を有する。加えて、シドフォビルの副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない高活性の抗マルチウイルス薬である。広範囲のDNAウイルス感染症（サイトメガロウイルス（CMV）等のヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得るという。

シドフォビル（cidofovir：CDV）：AIDS患者におけるサイトメガロウイルス網膜炎治療薬として、1996年にFDA承認済みである。シドフォビルは、ヘルペスウイルス科のみならず、アデノウイルス、パピローマウイルス、ポリオマウイルスなどのDNAウイルスの複製を阻害する。

シドフォビルは、腎尿管上皮細胞で有機アニオントランスポーター（OTA1）によって取り込まれ、蓄積することで腎毒性を生じる。プリンシドフォビルは脂肪鎖があることで、OTA1への取り込みが回避され、腎尿管上皮細胞への蓄積が生じないため、シドフォビルの問題であった腎毒性が回避されると期待される。

開発状況：欧米で第II相臨床試験開始に向け準備

プリンシドフォビルの注射剤は、米国において第I相臨床試験が終了しており、重篤な副作用は見られていないという。

同社は、2020年2月に開催したグローバルアドバイザリーボードでの検討の結果、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心として、プリンシドフォビルのグローバル開発を進めることを決定し

た。当該試験により得られた知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種dsDNAウイルス感染症に対する効果を検討し、抗マールチウイルス感染症へ対象領域を拡大する。さらに腎臓移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することにより、市場の拡大、プリンシドフォビルの事業価値の最大化を目指す。2021年2月現在、小児のBCV液剤の用量設定の試験開始に向けて、準備を進めている。

同剤は既にキメリックス社による欧米における臨床試験において、プリンシドフォビル経口剤が高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されている。プリンシドフォビル液剤に関しても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待されるという。

造血幹細胞移植とは、通常の化学療法では治すことが難しい血液がんや免疫不全症などに対して、完治させることを目的として行われる治療法のひとつである。日本では約4,000人の他家造血幹細胞移植があり、その約60%がウイルス性出血性膀胱炎（vHC）またはHHV-6脳炎に罹患するという。なお、ウイルス性出血性膀胱炎については、欧米ではシドフォビルが第一選択薬的に使用されている。また、脳炎についてはホスカビルやデノシンが第一選択薬でシドフォビルは第二選択薬に位置付けられている。

dsDNAウイルス：CMV（サイトメガロウイルス）、AdV（アデノウイルス）、HHV-6（ヒトヘルペスウイルス6）、BKウイルス、HSV1/2（単純ヘルペス1型・2型）、VZV（水痘帯状疱疹ウイルス）、HPV（ヒトパピローマウイルス）、JCV（進行性多巣性白質脳症）、天然痘ウイルスなど、ヘルペスウイルス科、アデノウイルス科、ポリオマウイルス科、パピローマウイルス科、ポックスウイルス科を含む。

ウイルス性出血性膀胱炎（vHC）：造血幹細胞移植後に頻発するウイルス感染症の中でも、出血性膀胱炎をきたすアデノウイルス感染症は、一般に難治性であり、重症化すると播種性の感染症を来して致死性となる。また、アデノウイルスが腎臓に移行して腎不全をもたらし致死となる例も報告されている。特に国内での比率が高い非血縁者ドナーおよび臍帯血移植において発症しやすく、免疫システムの再構築に要する時間的問題もあいまって、難治性となることが多く、シドフォビル（CDV）など現在治療に用いられている薬剤は未承認あるいは適応外である。

HHV-6脳炎：HHV-6（Human herpesvirus 6）は6番目に発見されたヒトヘルペスウイルス。同種造血幹細胞移植においてHHV-6の再活性化が30-70%の患者に生じ、HHV-6脳炎の原因となる。ほとんどのHHV-6脳炎は 2-6週目に発症し、最も頻度が高いのは移植後3週目である。記憶障害、意識障害、痙攣が三大症状であり、典型例では記憶障害から意識障害、痙攣と段階的に症状が進行するが、痙攣の発症頻度は30-70%と報告されている。進行が早い例では神経症状は時間単位で悪化し繰り返す痙攣や呼吸抑制のため人工呼吸器管理を必要となる症例も少なくない。HHV-6脳炎発症例に対しては早期の治療開始は重要で、短時間で急速に患者の状態が悪化することが多い。2018年2月に日本造血細胞移植学会が編集し発行した造血細胞移植ガイドラインでは、第1選択薬はホスカルネット（FOS）またはガンシクロビル（GCV）、第2選択薬はシドフォビル（CDV）である。CDVが第2選択薬とされているのは腎毒性と薬剤の脳脊髄液（CSF）中への移行不良のためとされる。しかしこれらin vitroで効果が確認された薬剤の、HHV-6脳炎発症例に対する臨床効果を確認する試験は現在まで実施されていない。

収益構造

(百万円)	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	19年12月期	20年12月期
売上高	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987
前年比	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%
製品売上高	1,632	1,955	1,432	1,940	1,933	2,137	3,444	3,810	2,811	2,977
前年比	401.3%	19.8%	-26.8%	35.5%	-0.3%	10.6%	61.1%	10.6%	-26.2%	5.9%
トリアキシン薬価ベース売上 (参考値)	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	48.2%	49.6%	33.9%	44.9%	40.6%	45.3%	45.3%	44.8%	-	-
権利収入	250	-	100	15	-	231	-	26	26	10
エーザイ社向け売上高	1,872	1,930	1,486	1,908	1,852	2,265	3,382	3,648	2,831	2,546
前年比	29.5%	3.1%	-23.0%	28.4%	-2.9%	22.3%	49.4%	7.9%	-22.4%	-10.1%
エーザイ社以外向け売上高	10	26	46	47	81	104	62	187	6	441
売上原価	1,224	1,362	1,214	1,428	1,350	1,464	2,413	2,663	1,973	2,120
原価率 (売上原価/製品売上高)	75.0%	69.7%	84.8%	73.6%	69.8%	68.5%	70.1%	69.9%	70.2%	71.2%
原価率 (売上原価/薬価ベース売上)	36.1%	34.6%	28.7%	33.1%	28.4%	31.0%	31.7%	31.3%	-	-
製品仕入	1,434	1,322	1,175	1,550	1,242	1,606	2,589	2,969	1,684	3,163
売上総利益	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173	865	867
製品売上総利益	408	593	218	512	583	673	1,031	1,147	838	857
売上総利益率	25.0%	30.3%	15.2%	26.4%	30.2%	31.5%	29.9%	30.1%	29.8%	28.8%
権利収入	250	-	100	15	-	231	-	26	26	10
販売費及び一般管理費	2,725	2,293	1,999	1,830	3,135	3,031	4,978	3,829	5,166	5,373
人件費	365	413	441	479	488	541	554	504	506	530
研究開発費	1,945	1,438	1,053	774	2,035	1,667	3,018	1,833	2,442	2,267
その他	415	442	505	577	612	823	1,406	1,492	2,219	2,576
営業利益	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506

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、2019年12月期まで、同社の売上高のほとんどは、エーザイを相手先とする売上高であった。同社は2020年12月10日よりトリアキシン®の自社販売を開始し、2020年12月期はエーザイ以外向け売上高が441百万円となった。

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ト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ト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。
- ▶ 2019年12月期は製品売上高が前期比で減少した。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から輸入した凍結乾燥注射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、同社から販売委託先のエーザイ株式会社へのトリアキシン®100mg製剤の出荷時期が当初の予定よりも遅延した。その結果、売上高は前期比で減収となった。

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。

売上原価

売上原価は、薬剤の仕入原価である。同社はトリアキシン®凍結乾燥剤については、アステラス ドイツランド社より仕入れている。2019年12月以前において、仕入価格は同社からエーザイへの卸値の70%程度であった。上述の通り、同社は2020年12月10日よりトリアキシン®の自社販売を開始した。これにより、自社販売以前において、エーザイが獲得していた販売にかかる収益（エーザイから医薬品卸業者に販売する売上高と同社からエーザイへの出荷額の差分）を同社は受領することとなり、売上総利益率の上昇要因になるとSR社は理解している。

また、同社が2021年1月に国内販売を開始したトレアキシン®RTD製剤については、米国イーグル・ファーマシューティカルズ社より仕入れている。同社によればトレアキシン® RTD製剤の売上総利益率はトレアキシン®凍結乾燥剤より高いという。

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。

トレアキシン®（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していた。

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。
- 短期間で製品化（上市）する開発力：同社の開発第1号品である抗がん剤トレアキシン[®]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。このトレアキシン[®]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・希少疾患領域の治療領域の開発に特化している。実際に、トレアキシン[®]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)

- 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。
- 特定製品への依存：2021年2月時点において、同社の商品売上高はトレアキシン[®]の売上高のみである。同社はバイオベンチャーであり、上市済みの医薬品を有していること自体が強みともいえるが、特定製品に依存していることは業績変動リスクを高める要因になっている。2019年12月期および2020年12月期において、アステラス ドイツランド GmbHから輸入したトレアキシン[®]凍結乾燥注射剤の異物混入および外観不良などにより、同社の販売が一時的に減少し、売上高および売上総利益が減少した。

マーケット概略

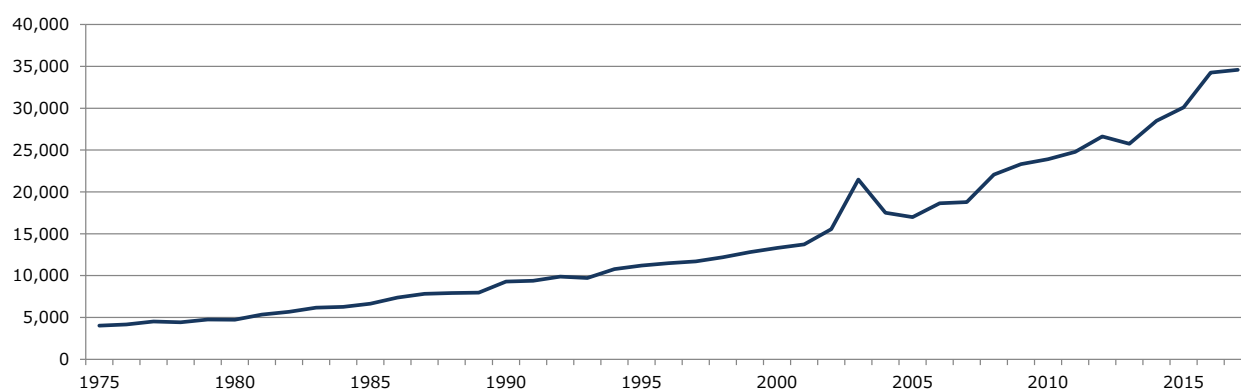
悪性リンパ腫の患者数、市場規模、治療薬

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「がん登録・統計」の罹患データによれば、国内における2017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34,571人（前年比1.0%増、過去10年の年平均増加率6.3%）であった。そのうち、60歳以上の高齢者が27,887人（前年比1.3%増）と全罹患数の80.7%（前年は80.4%）を占めた。

全部位のがん罹患数977,393人（前年比1.8%減）のなかに占める悪性リンパ腫罹患数の比率は3.5%（前年は3.4%）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2007年から2017年の間に84.1%増加し、同期間における全部位罹患数の増加率38.8%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	2015年
罹患数 (人)	4,013	4,741	6,635	9,297	11,195	13,307	16,991	23,919	30,103
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	23.7

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

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・マンタ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タ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	9,336	承認取得済	売上8,500百万円 (2018年12月期)
再発・難治性マンタル細胞リンパ腫			
未治療低悪性度非ホジキンリンパ腫 未治療マンタル細胞リンパ腫	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2020年12月期におけるリツキサン®の売上高は72億円（前期比39.5%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、2021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、2020年3月期におけるビダーザ®の売上高は15,652百万円（前期比8.3%増）であった。2021年3月期は同16,000百万円を予想している。

過去の業績

2020年12月期通期実績

- ▷ 売上高：2,987百万円（前期比5.3%増）
- ▷ 営業損失：4,506百万円（前期は4,302百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：4,616百万円（前期は4,377百万円の経常損失）
- ▷ 当期純損失：4,090百万円（前期は4,376百万円の当期純損失）

売上高は前期比で増収となった。トレアキシンの製品販売等により売上高を計上した。当第2四半期累計期間（上期）（2020年1-6月）の売上高は1,361百万円（前年同期比32.1%減）であったが、当下期（2020年7-12月）6ヵ月の売上高は1,626百万円（同95.3%増）となった。当上期には、アステラスドイツから輸入した複数のトレアキシンの凍結乾燥注射剤に高い不良品率と不安定な納期が継続した。そのため、売上高は前年同期を下回った。当下期は、不良率が改善し、検査済みの製品を販売したことで売上高が前年同期比で増加した。

同社とエーザイ株式会社との間で締結したトレアキシンのに関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。主要顧客別売上高は、エーザイ向け売上高が2,546百万円（前期比10.1%減）、株式会社スズケン向け売上高が126百万円（前期は0百万円）、東邦薬品株式会社向け売上高が120百万円（前期は0百万円）となった。

なお、2020年12月9日までトレアキシンの販売を行っていたエーザイ株式会社の資料によれば、2020年3月期のトレアキシンの売上収益は7,700百万円（前期比6.3%増）であった。2020年3月期第4四半期から2021年3月期第3四半期（2020年1-12月）までの累計で6,900百万円（前年同期は7,500百万円）であった。

売上総利益は867百万円（前期比0.2%増）、商品売上高に対する売上総利益率は28.8%（前期比1.0ポイント低下）となった。当上期にトレアキシンの凍結乾燥注射剤に対する品質検査を強化（目視検査を2回実施）したこと、たな卸資産評価損の計上、輸送コストの上昇などの理由から原価率が上昇した。たな卸資産評価損は69百万円（前期は188百万円）となった。トレアキシンの品質不良による評価損を計上した。

当上期の売上総利益率24.2%に対して、当下期の売上総利益率は33.0%に改善した。当上期はたな卸資産評価損を計上したが、当下期にはたな卸資産評価損の計上がなかった。また、当第4四半期にはトレアキシンの自社販売を開始したことも売上総利益率の上昇要因になったとSR社は理解している。

自社販売による売上総利益率上昇の理由：2020年12月10日からトレアキシンの販売が、エーザイへの委託から自社販売に切り替わったことで、同社の出荷先はエーザイから医薬品卸業者に変わった。これにより同社は、従来から得ていた売上総利益（同社からエーザイへの売上高と原価の差）に加え、2020年12月9日までエーザイが得ていた売上総利益（エーザイから医薬品卸業者へ出荷額とエーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することになる。

販売費及び一般管理費は、5,373百万円（前期比4.0%増）となった。研究開発および管理経費の低減を進め、900百万円の費用を抑制したが、後述の自社販売体制の構築のための先行費用により増加した。

- ▷ 研究開発費は2,267百万円（同7.2%減）となった。トレアキシンの注射剤およびリゴセルチブの注射剤の臨床試験費用が発生した。また、トレアキシンのRTD製剤の承認取得に伴うマイルストーン支払い（約500百万円）を計上した。
- ▷ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は3,107百万円（同14.0%増）となった。自社販売体制の構築のための先行費用を計上した。

増収効果と販売費一般管理費の増加によって、営業損益以下の各損益段階で損失が拡大した。経常損失と当純損失の差は、特別利益として受取和解金525百万円を計上したことによる。

事業の進捗概況

2020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。

- ▷ 同社とエーザイ株式会社との間で締結した抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」に関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。
- ▷ 2020年9月、同社は、トレアキシン®液剤「RTD製剤」について、製造販売に係わる承認を取得した。RTD製剤について、同社は2021年1月より販売を開始した。
- ▷ 2020年9月、トレアキシン®液剤「RI製剤」について、すべての被験者の観察期間が完了した。当該治験終了後に承認申請を行った上で、2022年12月期下半期の承認を目指す。
- ▷ 2020年8月、リゴセルチブの導入元であるオンコノバ社は、低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髓異形成症候群（高リスクMDS）を対象とするリゴセルチブ注射剤の国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）において、主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験のゲノム解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。
- ▷ 2020年8月、抗ウイルス感染症治療薬ブリンシドフォビルの注射剤（SyBV-1901、BCV IV）に関して、造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を進めることを決定した。同社単独でのグローバルでの新薬開発は、これが初めてのケースになるとSR社は認識している。
- ▷ 2020年7月、同社は、ザ・メディシンズ・カンパニー（以下、MDCO）に対する仲裁の判断を受領した。仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求を認めなかったものの、同社が要求した仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%に相当する495万米ドルを、MDCOが同社に支払うよう判断した。
- ▷ 2020年7月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象としたトレアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象とした抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用療法（BR療法）を可能にする製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

国内

自社販売体制の構築について

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月よりトレアキシン®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。

今期においては、地域のニーズに合致した提案を企画し、高い生産性をもつ営業組織体制を確立するため、医薬情報担当者53名を全国に配置するとともに、「ヘマトロジー・エキスパート」9名を各地域に設置した。

全国流通体制を確立するため、2020年9月には株式会社スズケン（以下、スズケングループ）および東邦薬品株式会社（東邦ホールディングス株式会社の連結子会社、以下、共創未来グループ）との間で医薬品売買に関する取引基本契約の締結を完了した。エーザイとの事業提携契約の満了後、スズケングループと共創未来グループの2社を総代理店として取引を開始した。全国物流体制の構築については、株式会社エス・ディ・コラボとの取引を開始し、東日本と西日本の2拠点に物流センターを設置した。

これによって自社販売体制の構築は完了し、エーザイとの事業提携契約の満了にともない、2020年12月には自社によるトレアキシン®販売体制へ移行した。

製品の安定供給について

同社は現在、トレアキシンの凍結乾燥注射剤を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社（以下、アステラスドイツ）から輸入している。当第2四半期累計期間（上期）においては前年同期と比べてトレアキシンの在庫レベルは低い状態で推移していた。当下期は輸入した複数のバッチの二次包装と品質検査を計画通りに実行した結果、現在は在庫レベルが回復した。

同社は、イーグル・ファーマシューティカルズ社（以下、イーグル社）よりトレアキシン®液剤（RTD製剤）のライセンスを受け、2020年9月に製造販売承認を取得し、2021年1月より販売を開始する。当第4四半期（2020年10-12月）には、トレアキシン®液剤（RTD製剤）の輸入および総代理店への出荷を開始した。

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）（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）およびマンツル細胞リンパ腫（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NHLおよび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、悪性リンパ腫領域において使用されている。

2018年7月に日本血液学会が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、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トレアキシン®が位置づけられた。

また、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抗体製剤との併用に係わる一部変更の承認取得（2018年7月）により、オピヌツズマブとの併用療法が治療選択肢として提供されている。これに加え、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取得（2019年3月）により、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」（2019年5月薬価収載）の前処置としてトレアキシン®の使用が可能となった。再生医療等製品の前処置としての使用方法の広がりによって、悪性リンパ腫における標準療法としてのトレアキシン®の位置づけは強固なものとなっている。

既に承認を取得した上記の適応症に続き、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BR療法による第III相臨床試験については、試験成績の主要評価項目である奏効率において期待奏効率を上回る結果となった。これを基に、2020年5月に製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。トレアキシンとリツキシマブを併用投与した時の生存時間データ（全生存期間、無増悪生存期間など）を評価することは、同剤のDLBCL治療における位置付けに重要なデータとなるため、全生存期間を主要評価項目とする追跡調査試験を実施中である。また、中外製薬株式会社（以下、中外）がr/r DLBCLを対象としたポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用について、2020年6月に製造販売承認申請を行ったことを受け、2020年7月、同社はトレアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。同社および中外の申請について、両社とも承認取得後、ポラツズマブ ベドチンが薬価収載され次第、ポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用においてトレアキシン®の使用が可能となる。この追加適応症については、現在有効な治療方法がないため、救済化学療法として複数の抗がん剤を組み合わせた多剤併用療法が使われているが、高い有効性と安全性が期待できる新たな治療薬の開発が望まれている。またBR療法については、すでに欧米においてr/r DLBCLの患者の治療に使われており、日本においても早期に使えるよう患者団体および関係学会から厚生労働省に対して要望書が提出された。

2017年9月にイーグル社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。RTD製剤については2020年9月に製造販売に関する承認を取得し、2021年1月に販売を開始する。RI製剤については安全性に関する臨床試験を実施中で、2021年12月期中に承認申請の予定である。RTD製剤は、従来の凍結乾燥注射剤に比べて、手動による煩雑な溶解作業が不要で、そのために要する時間を短縮することができ、医療従事者の負担軽減が可能となる。RI製剤は、投与時間が、従来の凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分に対して投与時間が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が可能となることから、大きな付加価値を提供することができる。また、液剤の製剤ライセンスによる複数の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、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）における全生存期間を主要評価項目として、全世界から20カ国以上が参加している国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）を実施した。オンコノバ社は、2020年8月に医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験の追加解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。

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）を完了し、リゴセルチブ経口剤とアザチジンを併用した際の有効性および安全性が示唆されている。同社はリゴセルチブ経口剤の初回治療の高リスクMDSを目標効能として、単剤により高用量の安全性および日本人での忍容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、2019年6月に症例登録を完了した。

抗ウイルス薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（ブリンシドフォビル））
同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの注射剤および経口剤（SyB V-1901）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたブリンシドフォビルの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。

同社は、2020年2月に開催したグローバルアドバイザリーボードでの検討の結果、「空白の治療領域」でアンメットメディカルニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたブリンシドフォビル液剤のグローバル開発を優先的に進めることを決定した。当該試験の進展により得られた有効性と安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種dsDNAウイルス感染症に対する効果を検討し、抗マルチウイルス感染症へ対象領域を拡大する。さらに腎臓移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することにより、市場の拡大、ブリンシドフォビルの事業価値の最大化を目指す。現在、2021年12月期に開始予定の小児のブリンシドフォビル液剤の用量設定の試験開始に向けて、準備を進めている。

同剤は既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてブリンシドフォビル経口剤が高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されている。ブリンシドフォビル液剤に関しても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待される。

キメリックス社は、2020年12月、米国食品医薬品局（FDA）が天然痘の医学的防衛策としてブリンシドフォビルの新薬申請（NDA）の提出を受理したことを発表した。FDAは優先審査を認め、処方薬ユーザー・フィー法（PDUFA）に基づき、審査終了目標日（PDUFA Date）を2021年4月7日に設定した。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

同社が2015年10月にザ・メディシンズ・カンパニー社（以下、MDCO）から導入したSyB P-1501（米国での商品名IONSYS）については、2017年10月にMDCO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。同社は、MDCOが欧米市場から撤退を決定したこと、ライセンス契約に基づく義務の履行について十分な保証を同社に対して提供しなかったことは、ライセンス契約の重大な違反である旨仲裁で主張した。2020年9月、仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求は認めない一方で、同社が仲裁で回収しようとした弁護士費用を含めた諸費用の50%に相当する約5百万米ドルをMDCOが同社に支払うよう、判断した旨の最終決定が確定したことを同社が発表した。

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。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル開発計画の推進に当面は注力するものの、常時複数のライセンス案件の検討と新薬開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を継続的に実施する。

2020年12月期第3四半期累計期間実績

- ▷ 売上高：2,333百万円（前年同期比16.2%増）
- ▷ 営業損失：3,142百万円（前年同期は3,536百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：3,221百万円（前年同期は3,642百万円の経常損失）
- ▷ 四半期純損失：2,694百万円（前年同期は3,641百万円の四半期純損失）

業績の概要

2020年12月期第3四半期累計期間の売上高は前年同期比で増収となった。トレアキシン®の製品販売等により売上高を計上した。当第2四半期累計期間（上期）（2020年1-6月）の売上高は1,361百万円（前年同期比32.1%減）であったが、当第3四半期（2020年7-9月）3カ月の売上高が972百万円（前年同期の売上高は3百万円）となり、9ヵ月累計では前年同期比で増加に転じた。当上期には、アステラスドイツから輸入した複数のトレアキシン®の凍結乾燥注射剤に高い不良品率と不安定な納期が継続した。そのため、売上高は前年同期を下回った。当第3四半期は、不良率が改善し、検査済みの製品を販売したことで売上高が前年同期比で増加した。

なお、トレアキシン®の販売を行っているエーザイ株式会社の資料によれば、2020年3月期のトレアキシン®の売上収益は7,700百万円（前期比6.3%増）であった。四半期ベースでは、2020年3月期第4四半期（2020年1-3月）が1,600百万円（前年同期は1,400百万円）、2021年3月期第1四半期（2020年4-6月）が1,900百万円（前年同期は2,000百万円）、2021年3月期第2四半期（2020年7-9月）が1,700百万円（前年同期は2,100百万円）と堅調に推移した。

売上総利益は611百万円（前年同期比8.5%増）、商品売上高に対する売上総利益率は26.2%（前年同期比1.8ポイント低下）となった。トレアキシン®の凍結乾燥注射剤に対する品質検査を強化（目視検査を2回実施）したこと、たな卸資産評価損の計上、輸送コストの上昇などの理由から原価率が上昇した。たな卸資産評価損は69百万円（前年同期は188百万円）となった。トレアキシン®の品質不良による評価損を計上した。ただし、当第3四半期の3ヵ月では、売上総利益率は28.9%となり、当上期の売上総利益率24.2%に対して改善した。当上期はたな卸資産評価損を計上したが、当第3四半期には、たな卸資産評価損の計上がなくなったことなどで原価率が低下した。

販売費及び一般管理費は、3,753百万円（前年同期比8.4%減）となった。

- ▷ 研究開発費は1,745百万円（同11.5%減）となった。トレアキシン®の注射剤およびリゴセルチブの注射剤の臨床試験費用が発生した。
- ▷ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は2,008百万円（同5.6%減）となった。自社販売体制の構築のための先行費用を計上した。

増収効果と販売費一般管理費の減少によって、営業損益以下の各損益段階で損失が縮小した。経常損失と四半期純損失の差は、特別利益として受取和解金525百万円を計上したことによる。

事業の進捗概況

2020年12月期第3四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。

- ▷ 2020年9月、同社は、トレアキシン®液剤「RTD製剤」について、製造販売に係わる承認を取得した。RTD製剤について、同社は2021年1月より販売を開始する予定である。
- ▷ 2020年9月、トレアキシン®液剤「RI製剤」について、すべての被験者の観察期間が完了した。当該治験終了後に承認申請を行った上で、2022年12月期下半期の承認を目指す。
- ▷ 2020年8月、リゴセルチブの導入元であるオンコノバ社は、低メチル化剤に不耐容性を示した高リスク骨髓異形成症候群（高リスクMDS）を対象とするリゴセルチブ注射剤の国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）において、主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験のゲノム解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。
- ▷ 2020年8月、抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの注射剤（SyB V-1901、BCV IV）に関して、造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を進めることを決定した。同社単独でのグローバルでの新薬開発は、これが初めてのケースになるとSR社は認識している。
- ▷ 2020年7月、同社は、ザ・メディシNZ・カンパニー（以下、MDCO）に対する仲裁の判断を受領した。仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求を認めなかったものの、同社が要求した仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%に相当する495万米ドルを、MDCOが同社に支払うよう判断した。
- ▷ 2020年7月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象としたトレアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象とした抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用療法（BR療法）を可能にする製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。

国内

自社販売体制の構築について

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、2021年1月よりトレアキシン®の国内販売について自社販売体制へ移行する予定である。これにより、2021年12月期の収益化とその後の収益の持続的拡大を達成し、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。

当第3四半期において、自社販売に向けてエーザイとの間で営業の承継作業を開始した。同社は、計画通り医薬情報担当者51名を全国に配置するとともに、「ヘマトロジー・エキスパート」6名を各地域に設置した。

2020年9月には株式会社スズケン（以下、スズケングループ）および東邦薬品株式会社（東邦ホールディングス株式会社の連結子会社、以下、共創未来グループ）との間で医薬品売買に関する取引基本契約の締結を完了した。エーザイとの事業提携契約の満了後スズケングループと共創未来グループの2社を総代理店として取引を行う。全国物流体制の構築については、株式会社エス・ディ・コラボとの取引を開始し、東日本と西日本の2拠点に物流センターを配置する。

製品の安定供給について

同社は現在、トレアキシンの凍結乾燥注射剤を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社（以下、アステラスドイツ）から輸入し、販売委託先であるエーザイを通じて国内販売をしている。当第2四半期累計期間においては前年同期と比べてトレアキシンの在庫レベルは極めて低い状態で推移していた。当第3四半期は輸入した複数のバッチの二次包装と品質検査およびエーザイへの出荷を計画通りに実行した結果、現在は在庫レベルが回復しつつある。

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）（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トレアキシン®）

既に承認済みの適応症

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）およびマンツル細胞リンパ腫（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NHLおよび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）を適応症として使用されている。

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トレアキシン®が位置づけられた。

また、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抗体製剤との併用に係わる一部変更の承認取得（2018年7月）により、オビヌツズマブとの併用療法が治療選択肢として提供されている。これに加え、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取得（2019年3月）により、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」（2019年5月薬価収載）の前処置としてトレアキシン®の使用が可能となった。

再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）について

既に承認を取得した上記の適応症に続き、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BR療法による第III相臨床試験については、試験成績の主要評価項目である奏効率において期待奏効率を上回る結果となった。これを基に、2020年5月に製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。トレアキシンとリツキシマブを併用投与した時の生存時間データ（全生存期間、無増悪生存期間など）を評価することは、同剤のDLBCL治療における位置付けに重要なデータとなるため、全生存期間を主要評価項目とする追跡調査試験を実施中である。

2020年5月には、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。同社によれば、第III相試験（38症例）の主な解析結果は以下の通りであった。

奏効率（ORR：Overall Response Rate）76%、完全寛解率（CR：Complete Response）47%

<遺伝子活性パターン別>

- ▷ GCB型：奏効率（ORR）83%、完全寛解率（CR）67%
- ▷ non-GCB型：奏効率（ORR）78%、完全寛解率（CR）39%

GCB型またはnon-GCB型はDLBCLの分類。

GCB型：Geminal center B-cell type、胚中心B細胞型

non-GCB型：non Geminal center B-cell type、非胚中心B細胞型

<年齢層別>

- ▷ 65歳未満：奏効率（ORR）86%、完全寛解率（CR）71%
- ▷ 65歳以上75歳未満：奏効率（ORR）75%、完全寛解率（CR）45%
- ▷ 75歳以上：奏効率（ORR）73%、完全寛解率（CR）36%

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レアキシン®の販売会社であるエーザイの2020年3月期の売上収益は8,000百万円であった。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。

また、中外製薬株式会社（以下、中外）がr/r DLBCLを対象としたポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用について、2020年6月に製造販売承認申請を行ったことを受け、2020年7月、同社はトレアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。同社および中外の申請について、両社とも承認取得後、ポラツズマブ ベドチンが薬価収載され次第、ポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用においてトレアキシン®の使用が可能となる。この追加適応症については、現在有効な治療方法がないため、救済化学療法として複数の抗がん剤を組み合わせた多剤併用療法が使われているが、高い有効性と安全性が期待できる新たな治療薬の開発が望まれている。またBR療法については、すでに欧米において再発・難治性DLBCLの患者の治療に使われており、日本においても早期に使えるよう患者団体および関係学会から厚生労働省に対して要望書が出た。

トレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）について

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。

- ▷ RTD製剤については2020年9月に製造販売に関する承認を取得し、2021年第1四半期に発売を予定している。
- ▷ 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、目標症例数の登録後の2020年9月にすべての被験者の観察期間が完了（LPLV: Last Patient Last Visit）した。当該治験終了後に早期に承認申請を行った上で、2022年12月期下半期の承認を目指す。同製剤は、投与時間が、従来の凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分に対して投与時間が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が可能となることから、大きな付加価値を提供することができる。

液剤（RTD製剤およびRI製剤）の製剤ライセンスによる複数の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る。RTD製剤およびRI製剤は、2016年1月に米国市場で発売し、発売後4ヵ月でベンダムスチン市場の40%のシェアを獲得し、その後、発売後12ヵ月で同90%超のシェアに達した。同社は日本では、これを上回るペースで凍結乾燥剤から液剤への切り替えが進むと見込んでいるという。

トレアキシンのライフサイクルマネジメント戦略

上述の通り、同社はトレアキシンのについて、承認済み適応症に加え、新規適応症であるr/r DLBCLの承認による売上の拡大を目指している。一方、トレアキシンの凍結乾燥品の希少疾患用医薬品指定による再審査期間が2020年に終了することから、トレアキシンの液剤（RTD製剤およびRI製剤）によって、製品寿命を2031年まで延長させる。

また、2020年12月よりトレアキシンの国内販売について自社販売体制へ移行する予定である。これによって、従来は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）を同社が取り込むことが可能となり、同社の利益率が上昇するとSR社は考えている。さらに、トレアキシンの液剤への移行後は、仕入先の変更によって、売上総利益率が上昇する可能性もあるとSR社は考えている。同社はトレアキシンの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、トレアキシンの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。なお、トレアキシンの液剤について、将来的には自社製造体制の構築も検討するとしている。

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

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、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）における全生存期間を主要評価項目として、全世界から20カ国以上が参加している国際共同第III相臨床試験（INSPIRE試験）を実施した。オンコノバ社は、2020年8月に医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。同社は日本における臨床開発を担当しており、INSPIRE試験のゲノム解析から得られた知見を今後のリゴセルチブの開発に活用するための検討を進める。

リゴセルチブ経口剤

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（アザンチジン併用）を完了し、リゴセルチブ経口剤とアザンチジンを併用した際の有効性および安全性が示唆されている。同社はリゴセルチブ経口剤の初回治療の高リスクMDSを目標効能として、単剤により高用量の安全性および日本人での忍容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、2019年6月に症例登録を完了した。

抗ウイルス感染症治療薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（プリンシドフォビル））

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの注射剤および経口剤（SyB V-1901、以下それぞれ「BCV IV」および「BCV Oral」）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたBCVの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。

同社は、2020年2月に開催したグローバルアドバイザリーボードでの検討の結果、「空白の治療領域」でアンメットメディカルニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を優先的に進めることを決定した。当該試験の進展により得られた有効性と安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種DsDNAウイルス感染症に対する効果を検討し、抗マルチウイルス感染症へ対象領域を拡大する。さらに腎臓移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することにより、市場の拡大、BCVの事業価値の最大化を目指す。現在、2021年12月期に開始予定の小児のBCV液剤の用量設定の試験開始に向けて、準備を進めている。

同剤は既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてBCV Oralが高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されており、各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性は、BCV IVに関しても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待される。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

同社が2015年10月にザ・メディシNZ・カンパニー社（以下、MDCO）から導入したSyB P-1501については、2017年10月にMDCO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。同社は、MDCOが欧米市場から撤退を決定したこと、ライセンス契約に基づく義務の履行について十分な保証を同社に対して提供しなかったことは、ライセンス契約の重大な違反である旨仲裁で主張した。2020年9月、仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求は認めない一方で、同社が仲裁で回収しようとした弁護士費用を含めた諸費用の50%に相当する495万米ドルをMDCOが同社に支払うよう、判断した旨の最終決定が確定したことを同社が発表した。

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。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリシドフォビルのグローバル開発計画の推進に当面は注力するものの、常時複数のライセンス案件の検討と新薬開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を継続的に実施する。

2020年12月期第2四半期累計期間実績

- ▷ 売上高：1,361百万円（前年同期比32.1%減）
- ▷ 営業損失：1,840百万円（前年同期は2,015百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：1,883百万円（前年同期は2,069百万円の経常損失）
- ▷ 四半期純損失：1,885百万円（前年同期は2,070百万円の四半期純損失）

業績の概要

売上高は前年同期比で減収となった。トリアキシン®の製品販売等により売上高を計上した。後述の通り、当第2四半期累計期間（上期）において、アステラスドイツから輸入した複数のトリアキシン®の凍結乾燥注射剤に高い不良品率と不安定な納期が継続した。そのため、供給問題が継続し、売上高は前年同期を下回った。

なお、トリアキシン®の販売を行っているエーザイ株式会社の資料によれば、2020年3月期のトリアキシン®の売上収益は7,700百万円（前期比6.3%増）であった。四半期ベースでも、トリアキシン®の売上収益は、2020年3月期第4四半期（2020年1-3月）が1,600百万円（前年同期は1,400百万円）、2021年3月期第1四半期（2020年4-6月）が1,900百万円（前年同期は2,000百万円）と前年同期並みで推移した。

売上総利益は330百万円（前年同期比37.7%減）、商品売上高に対する売上総利益率は24.2%（前年同期比2.2ポイント低下）となった。トリアキシン®の凍結乾燥注射剤に対する検査を強化（目視検査を2回実施）したこと、たな卸資産評価損の計上、輸送コストの上昇などの理由から原価率が上昇した。当上期において、たな卸資産評価損は69百万円（前年同期は188百万円）となった。トリアキシン®の品質不良による評価損を計上した。

販売費及び一般管理費は、2,170百万円（前年同期比14.7%減）となった。

- ▷ 研究開発費は834百万円（同13.4%減）となった。トレアキシン®の注射剤および経口剤、リゴセルチブの注射剤および経口剤の臨床試験費用が発生した。
- ▷ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,336百万円（同15.5%減）となった。自社販売体制の構築のための先行費用を計上した。費用項目としては、給与手当、販売促進費などが前年同期比で増加したが、支払報酬が35百万円（前年同期の支払報酬は542百万円）に減少した。

これらの結果、営業損失、経常損失、四半期純損失の損失額は前年同期比で縮小した。

2020年12月期通期会社予想に対する進捗率

2020年12月期通期会社予想に対する当上期実績の売上高の進捗率は40.0%にとどまったものの、同社は通期会社予想を据え置いた。下期に向けて、販売面では海外売上増加や全国営業組織構築の効果によるトレアキシン®の製品販売増加を見込む。供給面では、トレアキシン®凍結乾燥注射剤の不良品の問題に対しては、在庫を多めに持つことなどで対応し、当上期の進捗の遅れを取り戻す予定である。

また、後述の通り、ザ・メディシンズ・カンパニー（MDCO）の契約違反に関する仲裁判断について、2020年8月、仲裁廷は仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%をMDCOが同社に支払うよう判断した。この諸費用の金額について、同社は詳細に精査した上で、2020年12月期の業績予想に対する影響を見極めるとしている。

事業の進捗概況

2020年12月期上期における主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▷ 2020年8月、抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの注射剤（SyB V-1901、BCV IV）に関して、造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を進めることを決定した。同社単独でのグローバルでの新薬開発は、これが初めてのケースになるとSR社は認識している。
- ▷ 2020年7月、同社は、ザ・メディシンズ・カンパニー（以下、MDCO）に対する仲裁の判断を受領した。仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求を認めなかったものの、同社が要求した仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%を、MDCOが同社に支払うよう判断した。
- ▷ 2020年7月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象としたトレアキシン®とボラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象とした抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用療法（BR療法）を可能にする製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。
- ▷ 2020年3月、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、リゴセルチブ注射剤国際共同第III相試験（INSPIRE試験）にて、目標360症例の登録を完了したことを発表した。登録完了した360症例のうち、日本での症例登録は48症例であった。
- ▷ 2020年3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の症例登録が完了した。

国内

自社販売体制の構築について

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、2021年1月よりトレアキシンの国内販売について自社販売体制へ移行する予定である。これにより、2021年12月期の収益化とその後の収益の持続的拡大を達成し、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。

当第2四半期において、自社販売体制における全国営業組織の構築を計画通り完了した。全国営業組織の中核と位置づけているトレアキシンマネージャー（MR）およびリージョナルセールスマネージャー（地域営業責任者）を追加採用し、MR51名、地域営業責任者6名、KAM（KOL重点管理マネージャー）1名、HE（ヘマトロジーエキスパート）4名の計62名の自社販売体制を構築し、研修を完了した。これにより、2020年12月期上半期中の全国営業組織の構築完了に向けた仕上げの段階へ移行した。また、前期より引き続き、東西物流センターを軸とする流通および物流機能の整備に加えて、ERP等情報システムを含めた社内インフラの整備も仕上げの段階へと準備を進めた。

製品の不良品問題について

同社は現在、トレアキシンの凍結乾燥注射剤を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社（以下、アステラスドイツ）から輸入している。国内販売向けに2019年12月期に輸入した一部のバッチに異物の混入および外観不良の問題が起り、その割合が両社間で締結した供給契約で定めた基準を著しく超えていた。これを受けて、同社は今後同様の品質問題を繰り返さないようアステラスドイツに対して厳重に抗議するとともに、供給元としての責務を果たすようCAPA（是正措置、予防措置）の設置を含めて要請してきた。

しかし、当上期においても、アステラスドイツからの輸入した複数のバッチにおいて高い不良品率と不安定な納期は継続しており改善がなかった。そのため供給問題は継続しているため、当第2四半期のトレアキシンの在庫レベルは前年同期と比べて低い状態であり、その結果、当第2四半期の売上高は前年同期を下回った。

第3四半期においては、トレアキシンの在庫レベルを回復すべく、アステラスドイツに対して不良品率の低下と供給の安定化に向けた協議と要求事項に対する進捗管理を継続する。

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：トレアキシン®）

既に承認済みの適応症

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）およびマンツル細胞リンパ腫（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）およびマンツル細胞リンパ腫（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）を適応症として使用されている。

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トレアキシン®が位置づけられた。

また、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抗体製剤との併用に係わる一部変更の承認取得（2018年7月）により、オビヌツズマブ（2018年8月販売開始）との併用療法が治療選択肢として提供されている。これに加え、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取得（2019年3月）により、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」（2019年5月薬価収載）の前処置としてトレアキシン®の使用が可能となった。

再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）について

既に承認を取得した上記の適応症に続く、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BR療法による第III相臨床試験を実施し、2019年11月に試験成績の主要評価項目である奏効率において期待奏効率を上回る結果となった。2020年5月に製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

2020年5月には、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。同社によれば、第III相試験（38症例）の主な解析結果は以下の通りであった。

奏効率（ORR：Overall Response Rate）76%、完全寛解率（CR：Complete Response）47%

＜遺伝子活性パターン別＞

- ▷ GCB型：奏効率（ORR）83%、完全寛解率（CR）67%
- ▷ non-GCB型：奏効率（ORR）78%、完全寛解率（CR）39%

GCB型またはnon-GCB型はDLBCLの分類。

GCB型：Germinal center B-cell type、胚中心B細胞型

non-GCB型：non Germinal center B-cell type、非胚中心B細胞型

＜年齢層別＞

- ▷ 65歳未満：奏効率（ORR）86%、完全寛解率（CR）71%
- ▷ 65歳以上75歳未満：奏効率（ORR）75%、完全寛解率（CR）45%
- ▷ 75歳以上：奏効率（ORR）73%、完全寛解率（CR）36%

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・マント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ト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レアキシン®の販売会社であるエーザイの2020年3月期の売上収益は8,000百万円であった。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。

中外製薬株式会社（以下、中外）がr/r DLBCLを対象としたポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用について、2020年6月に製造販売承認申請を行ったことを受け、2020年7月、同社はトレアキシン®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。同社および中外の申請について、両社とも承認取得後、ポラツズマブ ベドチンが薬価収載され次第、ポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用においてトレアキシン®の使用が可能となる。この追加適応症については、現在有効な治療方法がないため、救済化学療法として複数の抗がん剤を組み合わせた多剤併用療法が使われている。しかしこれらは副作用が強いことから、副作用が少なく有効性が高い新たな治療薬の開発が望まれている。またBR療法については、すでに欧米において再発・難治性DLBCLの患者の治療に使われており、日本においても早期に使えるよう患者団体および関係学会から厚生労働省に対して要望書が出た。

トレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）について

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。

- ▷ RTD製剤については2019年9月に承認申請を完了し、2021年第1四半期に発売を予定している。

▷ 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、2020年3月に症例の登録が完了した。当該治験終了後に早期に承認申請を行った上で、2022年12月期下半期の承認を目指す。同製剤は、投与時間が、従来の凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分に対して投与時間が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が可能となることから、大きな付加価値を提供することができる。

液剤（RTD製剤およびRI製剤）の製剤ライセンスによる複数の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る。RTD製剤およびRI製剤は、2016年1月に米国市場で発売し、発売後4ヵ月でベンダムスチン市場の40%のシェアを獲得し、その後、発売後12ヵ月で同90%超のシェアに達した。同社は日本では、これを上回るペースで凍結乾燥剤から液剤への切り替えが進むと見込んでいるという。

トレアキシン®のライフサイクルマネジメント戦略

上述の通り、同社はトレアキシン®について、承認済み適応症に加え、新規適応症であるr/r DLBCLの承認による売上の拡大を目指している。一方、トレアキシン®凍結乾燥品の希少疾患用医薬品指定による再審査期間が2020年に終了することから、トレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）によって、製品寿命を2031年まで延長させる。

また、2021年1月よりトレアキシン®の国内販売について自社販売体制へ移行する予定である。これによって、従来は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）を同社が取り込むことが可能となり、同社の利益率が上昇するとSR社は考えている。さらに、トレアキシン®液剤への移行後は、仕入先の変更によって、売上総利益率が上昇する可能性もあるとSR社は考えている。同社はトレアキシン®凍結乾燥剤はアステラス ドイッチランド社より仕入れているが、トレアキシン®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。なお、トレアキシン®液剤について、将来的には自社製造体制の構築も検討するとしている。

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

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（INSPIRE試験）の日本における臨床試験を同社が担当する。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ヵ国以上が参加して実施している。オンコノバ社の発表によれば、2020年3月に全世界における目標360症例数の登録が完了した後、2020年7月に必要生存イベント数（required number of survival events）に到達した。同発表によれば、2020年12月期第3四半期中に主要評価項目の結果が明らかになり、年内に学会で試験結果を発表する予定である。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行うことを計画している。

リゴセルチブ経口剤

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）を完了し、リゴセルチブ経口剤とアザチジンを併用した際の有効性および安全性が示唆されている。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、2019年6月に症例登録を完了した。同試験終了後、オンコノバ社が検討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試験に参加する予定である。同国際共同試験については2019年12月の第61回米国血液学会議で発表されたデータを基に未治療高リスクMDSを対象とした第II/III相アダプティブ臨床試験（Phase 2/3 adaptive trial）のデザインを検討中であることをオンコノバ社が2019年12月に発表した。

抗ウイルス感染症治療薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（プリンシドフォビル））

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの注射剤および経口剤（SyB V-1901、以下それぞれ「BCV IV」および「BCV Oral」）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたBCVの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。

同社はBCVの独占的権利を取得して以来、グローバル開発計画の策定にあたり、国内外の感染症領域の専門家と意見交換を重ね、科学的・医学的な妥当性とBCVの事業性評価について検討を進めた。その結果、2020年8月に「空白の治療領域」でアンメットメディカルニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を優先的に進めることを決定した。当該試験の進展により得られた有効性と安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後のマルチウイルス感染症へ対象領域を拡大する。さらに臓器移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することにより、市場の拡大、BCVの事業価値の最大化を目指し、高品質の医薬品供給のための一貫体制を備えたグローバルスペシャリティファーマへの転換を進めていく。

同剤は既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてBCV Oralが高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されており、各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性は、BCV IVに関しても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待される。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

同社が2015年10月にザ・メディシンズ・カンパニー社（以下、MDCO）から導入したSyB P-1501については、2017年10月にMDCO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。MDCOが欧米市場で同製品の事業活動の中止・撤退を決定したことに伴い、ライセンス契約に基づく義務の履行について十分な保証を同社に対して提供できなかったことは、ライセンス契約の重大な違反である旨仲裁で主張してきた。2020年8月、仲裁廷は同社が主張した損害賠償請求は認めない一方で、仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%をMDCOが同社に支払う旨の仲裁判断を同社が発表した。MDCOは反対請求として同社の試験中止に対する損害賠償請求を行ってきたが、仲裁廷はMDCOの反対請求および関連費用の請求を一切認めなかった。なお、上記の諸費用の金額については、現在精査が行われており、最終確定までには最低でも数週間程度を要する見込みである。同社は仲裁廷の判断を詳細に精査した上で、2020年12月期の業績予想に対する影響を慎重に見極めるとしている。

参考として、同社は仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用を、販売費及び一般管理費の支払報酬に計上しているとSR社は認識している。MDCOの仲裁申し立ては2017年12月期に開始しており、同社の支払報酬は2016年12月期の137百万円が、2017年12月期は567百万円、2018年12月が444百万円、2019年12月期が712百万円となった。仲裁手続きにかかる諸費用は、2017年12月期以降の支払報酬増加の大きな要因であったとSR社は考えている。

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。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発計画の策定と推進に当面は注力するものの、常時複数のライセンス案件の検討と新薬開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を継続的に実施する。

2020年12月期第1四半期実績

- ▷ 売上高：551百万円（前年同期比65.8%減）
- ▷ 営業損失：962百万円（前年同期は596百万円の営業損失）
- ▷ 経常損失：991百万円（前年同期は616百万円の経常損失）
- ▷ 四半期純損失：992百万円（前年同期は617百万円の四半期純損失）

売上高は前年同期比で減収となった。トリアキシン®の製品販売等により売上高を計上した。後述の通り、当第1四半期において、アステラスドイツからの輸入した複数のトリアキシン®の凍結乾燥注射剤において高い不良品率と不安定な納期は継続しており改善がなかった。そのため、供給問題が継続し、売上高は前年同期を下回った。

なお、トリアキシン®の販売を行っているエーザイ株式会社の資料によれば、2020年3月期のトリアキシン®の売上収益は8,000百万円（前期比6.2%増）であった。四半期ベースでも、2020年3月期第4四半期（2020年1-3月）のトリアキシン®の売上収益は1,600百万円（前年同期は1,500百万円）と前年同期比で増加した。

売上総利益は128百万円（前期比79.0%減）、商品売上高に対する売上総利益率は23.2%（前年同期比14.6ポイント低下）となった。トリアキシン®の凍結乾燥注射剤に対する検査を強化したことから原価率が上昇した。

販売費及び一般管理費は、1,090百万円（前年同期比9.6%減）となった。研究開発費は438百万円（同7.1%減）となった。トリアキシン®の注射剤および経口剤、リゴセルチブの注射剤およ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651百万円（同11.1%減）となった。自社販売体制の構築のための先行費用を計上したが、前年同期比では支払報酬などが減少した模様である。

これらの結果、営業損失、経常損失、四半期純損失の損失額は前年同期比で拡大した。営業損失と経常損失の差異について、為替差損16百万円、株式交付費13百万円を主とする営業外費用30百万円を計上した。

2020年12月期通期会社予想に対する当第1四半期の売上高の進捗率は16.2%にとどまったものの、同社は通期会社予想を据え置いた。下期に向けてトリアキシン®凍結乾燥注射剤の供給問題が解消する想定であるとSR社は考えている。

2020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。

- ▷ 2020年5月、同社は、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）を対象とした抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」とリツキシマブの併用療法（BR療法）を可能にする製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。
- ▷ 2020年5月、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。
- ▷ 2020年3月、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、リゴセルチブ注射剤国際共同第III相試験（INSPIRE試験）にて、目標360症例の登録を完了したことを発表した。登録完了した360症例のうち、日本での症例登録は48症例であった。
- ▷ 2020年3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の症例登録が完了した。

国内

自社販売体制の構築について

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、2021年1月より自社販売体制へ移行する予定である。これにより、2021年12月期の収益化とその後の収益の持続的拡大を達成し、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。

当第1四半期において、自社販売体制における営業組織の中核と位置づけているトレアキシンマネージャーおよびリージョナルセールスマネージャーの増員と研修を実施した。これにより、2020年12月期上半期中の全国営業組織の構築完了に向けた段階へ移行した。また、前期より引き続き、東西物流センターを軸とする流通および物流機能の整備に加えて、ERP等情報システムを含めた社内インフラの整備も準備を進めた。

製品の不良品問題について

同社は現在、トレアキシン®の凍結乾燥注射剤を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社（以下、アステラスドイツ）から輸入している。国内販売向けに2019年12月期に輸入した一部のバッチに異物の混入および外観不良の問題が起り、その割合が両社間で締結した供給契約で定めた基準を著しく超えていた。これを受けて、同社は今後同様の品質問題を繰り返さないようアステラスドイツに対して厳重に抗議するとともに、供給元としての責務を果たすようCAPA（是正措置、予防措置）の設置を含めて要請してきた。しかし、当第1四半期においても、アステラスドイツからの輸入した複数のバッチにおいて高い不良品率と不安定な納期は継続しており改善がなかった。そのため供給問題は継続しているため、当第1四半期のトレアキシン®の在庫レベルは前年同期と比べて低い状態であり、その結果、当第1四半期の売上高は前年同期を下回った。

第2四半期累計期間においても高い不良品率と不安定な納期が継続し、トレアキシン®の販売委託先であるエーザイへの出荷売上高が前年同期を下回ることが見込まれるが、トレアキシン®の在庫レベルを回復すべく、不良品率の低下と供給の安定化に向けた協議と要求事項に対する進捗管理を継続する。

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）およびマンツル細胞リンパ腫（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）およびマンツル細胞リンパ腫（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）を適応症として使用されている。

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トレアキシン®が位置づけられた。

また、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抗体製剤との併用に係わる一部変更の承認取得（2018年7月）により、オビヌツズマブ（2018年8月販売開始）との併用療法が治療選択肢として提供されている。これに加え、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取得（2019年3月）により、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」（2019年5月薬価収載）の前処置としてトレアキシン®の使用が可能となった。

既に承認を取得した上記の適応症に続く、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BR療法による第III相臨床試験を実施し、2019年11月に試験成績の主要評価項目である奏効率において期待奏効率を上回る結果となった。2020年5月に製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

2020年5月には、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相試験の解析結果について、2020年6月開催予定の第25回欧州血液学会議により抄録が採択された。同社によれば、第III相試験（38症例）の主な解析結果は以下の通りであった。

＜遺伝子活性パターン別＞

- ▷ GCB型：奏効率（ORR：Overall Response Rate）83%、完全寛解率（CR：Complete Response）67%
- ▷ non-GCB型：奏効率（ORR）78%、完全寛解率（CR）39%

GCB型またはnon-GCB型はDLBCLの分類。

GCB型：Germinal center B-cell type、胚中心B細胞型

non-GCB型：non Germinal center B-cell type、非胚中心B細胞型

＜年齢層別＞

- ▷ 65歳未満：奏効率（ORR）86%、完全寛解率（CR）71%
- ▷ 65歳以上75歳未満：奏効率（ORR）75%、完全寛解率（CR）45%
- ▷ 75歳以上：奏効率（ORR）73%、完全寛解率（CR）36%

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。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、既に2019年9月に承認申請を完了し、2021年12月期第1四半期に発売を予定している。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、2020年3月に症例の登録が完了した。当該治験終了後に早期に承認申請を行った上で、2022年12月期下半期の承認を目指す。同製剤は、投与時間が、従来の凍結乾燥注射剤及びRTD製剤の60分に対して投与時間が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が可能となることから、大きな付加価値を提供することができる。また、液剤の製剤ライセンスによる複数の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、2020年4月時点で50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。オンコノバ社の発表によれば、2020年3月時点で全世界における目標360症例数の登録が完了した。同発表によれば、2020年度下半期に主要評価項目の結果が明らかになり、年内に学会で試験結果を発表する予定である。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、リゴセルチブ経口剤とアザシチジンを併用した際の有効性および安全性が示唆されている。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、2019年6月に症例登録を完了した。同試験終了後、オンコノバ社が検討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2019年12月の第61回米国血液学会議で発表されたデータを基に未治療高リスクMDSを対象とした第II/III相アダプティブ臨床試験（Phase 2/3 adaptive trial）のデザインを検討中であることをオンコノバ社が2019年12月に発表した。

抗ウイルス感染症治療薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（プリンシドフォビル））

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間で抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの注射剤および経口剤（SyB V-1901、以下それぞれ「BCV IV」および「BCV Oral」）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたBCVの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得した。

同剤は、既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてBCV Oralが高活性の抗ウイルス効果を示し、また広域のスペクトラムを有することが確認されており、これらの知見を基にグローバルの臨床試験のデザインを検討する。

開発については、国内ではBCV IVにより、医療ニーズの高い造血幹細胞移植後のウイルス性出血性膀胱炎（vHC）を最初の疾患ターゲットとし、同剤を必要とする患者に提供できるよう、世界に先駆けてまず国内で臨床開発を進め承認を取得する計画である。また同時に、BCV IVによる欧米を含めた国際共同臨床試験を実施しグローバル展開を図る。BCV IVは造血幹細胞移植のみならず臓器移植含め移植領域全般で使われることが考えられ、腎臓移植後のウイルス感染症に対する臨床開発も計画している。日本市場に比べ臓器移植の市場規模が大きい欧米市場および中国市場を含めたアジア地域での事業展開を睨み、対象疾患の地域特性を生かしたパートナーシップも視野に入れている。

自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

同社が2015年10月にザ・メディシNZ・カンパニー社から導入したSyB P-1501については、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申し立てた。ザ・メディシNZ・カンパニー社が欧米市場で同製品の事業活動の中止・撤退を決定したことに伴い、ライセンス契約に基づく義務の履行について十分な保証を同社に対して提供できなかったことは、ライセンス契約の重大な違反である旨仲裁で主張している。また、2017年11月30日に同社によるライセンス契約の違反が約定期間内に治癒されなかったことを受けて、ライセンス契約を解除し、同製品の開発は2018年2月に中止した。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。なお、2020年1月にノバルティスAG社（本社：スイス）がザ・メディシNZ・カンパニー社の買収を完了したことを発表した。仲裁判断は2020年上半期を予定している。

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。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発計画の策定と推進に当面は注力するものの、常時複数のライセンス案件の検討と新薬開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を継続的に実施する。

損益計算書

損益計算書 (百万円)	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 単独	20年12月期 単独
売上高	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987
前年比	29.8%	3.9%	-21.6%	27.6%	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%
売上原価	1,224	1,362	1,214	1,428	1,350	1,464	2,413	2,663	1,973	2,120
売上総利益	658	593	318	527	583	904	1,031	1,173	865	867
売上総利益率	35.0%	30.3%	20.8%	26.9%	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%	30.5%	29.0%
販売費及び一般管理費	2,725	2,293	1,999	1,830	3,135	3,031	4,978	3,829	5,166	5,373
売上高販管費比率	144.8%	117.3%	130.4%	93.6%	162.1%	128.0%	144.5%	99.8%	182.1%	179.9%
営業利益	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業外収益	56	7	114	215	17	7	5	2	4	3
営業外費用	85	37	35	22	96	196	34	95	79	112
経常利益	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
特別利益	-	-	-	2	3	9	17	10	4	529
特別損失	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	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090
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、2020年12月期の特別利益529百万円は受取和解金525百万円による。

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)	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 単独	20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	4,465	3,404
売上高（実績）	1,883	1,955	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987
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%	-36.4%	-12.2%
営業利益（期初予想）	-2,351	-1,625	-1,889	-1,654	-1,654	-2,778	-3,238	-2,981	-3,587	-5,090
営業利益（実績）	-2,067	-1,700	-1,681	-1,303	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506
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	-3,612	-5,134
経常利益（実績）	-2,095	-1,729	-1,601	-1,110	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616
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	-3,612	-4,803
当期利益（実績）	-2,105	-1,733	-1,605	-1,116	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090
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。

貸借対照表

貸借対照表 (百万円)	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 単独	20年12月期 単独
資産										
現金及び預金	4,559	4,540	6,163	5,692	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849
有価証券	1,953	300	1,100	899	-	-	-	-	-	-
売掛金	162	148	-	273	301	487	490	412	549	407
たな卸資産	207	165	125	245	133	273	363	534	1	945
その他の流動資産	297	268	245	181	131	205	237	271	427	615
流動資産合計	7,178	5,421	7,634	7,290	4,827	6,685	4,037	6,038	4,887	5,815
建物 (純額)	2	3	2	22	22	31	28	37	47	43
工具、器具及び備品 (純額)	15	11	6	27	31	43	18	20	19	34
有形固定資産合計	17	14	9	49	53	75	47	57	75	77
投資その他の資産合計	48	57	37	49	53	77	100	73	70	81
ソフトウェア	10	8	6	62	51	42	66	51	95	296
その他	3	3	2	4	1	-	3	20	146	6
無形固定資産合計	13	11	8	66	52	42	69	71	241	302
固定資産合計	78	82	53	164	158	193	216	201	386	459
資産合計	7,256	5,502	7,687	7,454	4,984	6,878	4,252	6,239	5,274	6,275
負債										
買掛金	309	330	-	306	320	322	604	726	121	665
前受収益	-	-	-	-	-	-	-	-	-	193
未払金	278	196	207	143	184	553	331	504	639	646
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	59	73	44	39	47	68	76	107	112	111
流動負債合計	646	599	251	488	551	942	1,011	1,336	872	1,615
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
社債	-	-	-	-	-	450	-	-	-	-
その他の固定負債	5	4	3	2	2	1	1	1	2	2
固定負債合計	5	4	3	2	2	451	1	1	2	2
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
負債合計	651	602	254	490	552	1,394	1,013	1,338	874	1,617
純資産										
資本金	6,025	6,025	8,059	8,331	8,331	9,948	10,762	12,973	14,871	17,045
資本剰余金	5,995	5,995	8,029	8,301	8,301	9,918	10,732	12,943	14,841	17,019
利益剰余金	-5,413	-7,146	-8,752	-9,868	-12,500	-14,813	-18,791	-21,543	-25,919	-30,010
自己株式	-0	-0	-0	-0	-0	-0	-0	-0	-15	-18
新株予約権	-	27	97	200	300	431	537	530	621	620
純資産合計	6,606	4,900	7,433	6,964	4,432	5,485	3,239	4,902	4,400	4,657
運転資金	61	-17	125	212	114	439	249	220	429	686
有利子負債合計	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
ネット・デット	-4,559	-4,540	-6,163	-5,692	-4,261	-5,719	-2,947	-4,821	-3,911	-3,849

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

同社は臨床試験、製造を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、主にトレアキシンの製品在庫である。

負債

2020年12月期において、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たことから、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)	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 単独	20年12月期 単独
営業活動によるキャッシュフロー (1)	-2,074	-1,659	-1,677	-1,266	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325	-4,351	-4,122
投資活動によるキャッシュフロー (2)	-117	-411	-1,332	314	1,489	-44	-78	-26	-216	-160
FCF (1+2)	-2,191	-2,069	-3,010	-952	-783	-2,004	-3,894	-2,351	-4,567	-4,283
財務活動によるキャッシュフロー	4,611	-1	4,057	544	-3	3,658	1,164	4,272	3,740	4,222
減価償却費及びのれん償却費 (A)	8	9	8	13	24	26	30	35	38	64
設備投資 (B)	-12	-3	-	-109	-24	-28	-57	-40	-217	-149
運転資金増減 (C)	56	-78	142	86	-98	325	-190	-29	209	257
単純 F C F (NI+A+B-C)	-2,165	-1,650	-1,739	-1,298	-2,534	-2,640	-3,815	-2,729	-4,764	-4,433
現金及び現金同等物の期末残高	6,311	4,240	5,294	5,092	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849

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、臨床試験および製造は外部企業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)	
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
2019年1～12月	1,726,800	26,437,681	3,796	29,711	新株予約権の権利行使
2020年1～12月	11,765,275	38,202,956	4,349	34,064	新株予約権の権利行使

出所：同社資料よりSR社作成

*同社は2019年7月に普通株式4株を1株にする株式併合を実施した。これにより発行済株式数は73,088,043株減少した。

その他の情報

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号開発薬トレアキシニン[®]（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、トレアキシニン[®]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、トレアキシニン[®]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、トレアキシニン[®]の国内製造販売承認を取得。2010年12月、トレアキシニン[®]の国内販売を開始した。

2021年2月現在、悪性リンパ腫の抗がん剤トレアキシニン[®]が同社の主力商品である。また、トレアキシニン[®]の適応症追加、トレアキシニン[®]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。

その他、2019年9月にキメリックス社から世界全域における開発・販売・製造の独占的権利を取得したプリンシドフォビル（天然痘疾患を除く）について、2020年代半ばの製品化を目標として開発を進めている。

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「トレアキシニン [®] 」の国内製造販売承認取得

2010年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」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「トレアキシン®」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「トレアキシン®」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
2019年9月	Chimerix社（米国）と抗ウイルス薬「プリンシドフォビル」（天然痘除く）の開発・販売・製造に関する独占的グローバルライセンス契約を締結
2020年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の自社販売開始を開始した。
2021年1月	トレアキシン液剤「RTD製剤」の販売を開始した。

ニュース&トピックス

2021年2月

2021年2月22日、同社は、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトレアキシン®の第III相臨床試験の試験結果に関して発表した。

同社は、再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（再発又は難治性DLBCL）を対象とする抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）とリツキシマブの併用（BR療法）による第III相臨床試験の試験結果を、2021年2月20日に第18回日本臨床腫瘍学会学術集会にて発表した。

第3相臨床試験の主な有効性評価結果（38症例）

- ▷ 奏効率（CR+PR）：76.3%
- ▷ 完全寛解率（CR）：47.4%
- ▷ 全生存期間の中央値：29.2ヵ月

2021年2月4日、同社は2021年12月期から2023年12月期（3ヵ年）の中期経営計画に関して発表した。

中期経営計画の業績目標

(百万円)	21年12月期 会予	22年12月期 目標	23年12月期 目標
売上高	9,151	10,985	12,369
前年比	206.4%	20.0%	12.6%
営業利益	1,361	1,738	2,099
前年比	-	27.7%	20.8%
利益率	14.9%	15.8%	17.0%
経常利益	1,350	1,727	2,088
前年比	-	27.9%	20.9%
利益率	14.8%	15.7%	16.9%
当期純利益	1,149	1,470	1,778
前年比	-	27.9%	21.0%
利益率	12.6%	13.4%	14.4%

出所：同社資料をもとにSR社作成

中期経営計画（2021年12月期から2023年12月期）の業績目標

売上高

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。2020年12月期まで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たが、2021年12月期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する。

2021年12月期以降の売上高の算定において、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）の適応追加によるトレアキシン®の製品売上の拡大を想定し、目標数値を開示した。

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、トレアキシン®およびリゴセルチブ、抗ウイルス薬プリンシドフォビル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た費用である。
- ▷ 抗ウイルス薬プリンシドフォビルに続く、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に関する一時金等の費用は想定していない。
- ▷ その他販売費及び一般管理費については、主としてトレアキシン®の営業、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12月期からのトレアキシン®の自社販売体制の運営に係わる費用を想定している。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。

当期純利益

当期純利益は、2020年2月に公表した前中期経営計画においては、2021年12月期以降に繰越欠損金等の解消が進むことの影響額を税効果会計に反映し、2021年12月期と2022年12月期において経常利益を上回る当期純利益を計上した。新たな中期経営計画においては、会計監査人の見解も踏まえ、2021年12月期以降の法人税等調整額の要素を除外して計画を策定した。

人員計画

人員計画については、2020年12月期に62名から成る全国営業組織の構築を完了した。それ以外の組織においては必要な人員配置を計画し、そのための人件費を計上している。抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル展開に伴う増員を計画し人件費に反映した。

資金計画

資金計画については、将来の事業展開に応じた資金需要に対して柔軟かつ機動的に対応できるよう、財務基盤の強化に努める。

2021年1月

2021年1月28日、同社はベンダムスチンおよびリゴセルチブの新規適応症の探索に関する東京大学医科学研究所との共同研究契約の締結に関して発表した。

同社は、東京大学医科学研究所（以下、東大医科研）との間で、抗がん剤として開発中のBendamustine（以下、ベンダムスチン）およびRigosertib（以下、リゴセルチブ）の新規適応症の探索に関する共同研究契約を締結した。

同社は同契約に基づき、東大医科研附属先端医療研究センター細胞療法分野・北村俊雄教授と共同研究を行い、ベンダムスチン、リゴセルチブに関して、両化合物あるいは他の既存薬との併用により新たな有用性を見出すとともに、新規適応症の探索を行う。

北村俊雄教授との共同研究において、複数の腫瘍細胞等を用いてエピジェネティック制御の解析を行う。これにより、ベンダムスチン、リゴセルチブの従来認知されていた作用以外の薬理作用の検討、両化合物あるいは他の既存薬との組み合わせにより得られる薬理作用の解析を行う。

北村俊雄教授は、これまで白血病などの造血器腫瘍の研究と造血幹細胞分化の研究において研究業績と研究・臨床のネットワークを有している。また、これまで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や造血器腫瘍モデルを利用した新規治療法の開発に取り組んできた。同社は、これまで培った抗がん剤の早期承認取得の実績および経験を活かし、東京大学医科学研究所と共同して当該開発品の新規適応症の探索を進める。

2021年1月12日、同社はトレアキシン液剤「RTD製剤」発売に関して発表した。

同社は、トレアキシン点滴静注液100mg/4mL（トレアキシン®液剤「RTD製剤」、Ready-To-Dilute：溶解不要で希釈するのみの製剤）を、同日より発売する。

同社は、2017年9月にEagle Pharmaceuticals, Inc.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。トレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）の製剤ライセンスによる複数の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る。

トレアキシン®液剤「RTD製剤」は、現行のトレアキシン®凍結乾燥剤「FD製剤」に比べて、手動による煩雑な溶解作業が不要であり、溶解に要する時間を短縮することができ、医療関係者の負担を低減することにより付加価値を提供できる。また、トレアキシン®液剤「RI製剤」（急速静注製剤）については、現在、安全性に関する臨床試験を実施中で、2021年12月期中に承認申請の予定である。

米国市場においては急速静注製剤「RI製剤」（BENDEKA®）については、既に米国FDAから承認を取得しており、Teva Pharmaceutical Industries Ltd.により販売されている。点滴投与時間が10分間と短縮されることから、患者および医療関係者の負担が軽減される。

2020年12月

2020年12月22日、同社はシンジケート・ローン契約締結に関して発表した。

同社は事業の拡大に伴い、安定的かつ機動的な資金調達体制を構築することを目的として、シンジケート・ローン（コミットメントライン）の契約を締結した。

シンジケート・ローン契約の概要

- ▷ 組成金額：3,000百万円
- ▷ 契約締結日：2020年12月22日
- ▷ コミットメント期間：2020年12月25日～2022年6月24日
- ▷ 資金使途：運転資金
- ▷ 適用利率：基準金利＋スプレッド
- ▷ 担保：無担保
- ▷ アレンジャー兼エージェント：株式会社三菱UFJ銀行
- ▷ 参加金融機関：株式会社三菱UFJ銀行、株式会社横浜銀行

2020年12月10日、同社は抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」自社販売開始に関して発表した。

同社とエーザイ株式会社との間で締結した抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」に関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。

血液疾患領域の豊富な営業経験と高い専門性を有する医薬情報担当者、総勢62名を全国主要地域に配置し、製品の安定供給と品質保証の強化を図るため薬事・信頼性保証本部を新設した。また、スズケングループと共創未来グループの2社を総代理店として全国流通体制を構築した。物流センターは東日本と西日本の2拠点とし、株式会社エス・ディ・コラボとの提携により、適正な全国流通物流体制を確立したとしている。

2020年9月

2020年9月23日、同社は、トレアキシン液剤「RTD製剤」に関する承認取得について発表した。

同社は、トレアキシン®液剤「RTD製剤」（Ready-To-Dilute：溶解不要で希釈するのみの製剤）について、製造販売に係わる承認を取得した。

同社は、2017年9月にEagle Pharmaceuticals, Inc.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、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を可能とした。トレアキシン®液剤（RTD製剤およびRI製剤）は、現行のトレアキシン®凍結乾燥剤（FD製剤）に比べて、手動による煩雑な溶解作業とそのために要する時間が不要で、患者と医療関係者の負担を大幅に低減することにより大きな付加価値を提供できるとしている。RTD製剤について、同社は2021年1月より販売を開始する予定である。

2020年9月17日、同社は、業績予想の修正および中期経営計画の修正に関して発表した。

業績予想の修正について

2020年12月期通期業績予想の修正

- ▷ 売上高：3,043百万円（前回予想は3,404百万円）
- ▷ 営業損失：4,592百万円（同5,090百万円）
- ▷ 経常損失：4,656百万円（同5,134百万円）

- ▷ 当期純損失：3,796百万円（同4,803百万円）
- ▷ 1株当たり当期純損失：116.16円（同146.98円）

修正の理由

2020年12月期の売上高については、新型コロナウイルスの影響等により事業環境の見通しが不透明さを増す中、当第2四半期累計期間（上期）の実績（1,361百万円、前年同期比32.1%減少）を踏まえ、通期では前期実績を上回るものの、前回予想を下回る予想に修正した。国内におけるトレアキシンの市場での需要が、下期は上期と比較して毎年多い傾向にある

ることに加え、当下期に予定している海外売上が当上期と比較して増加見込であることを主な要因として、当下期の売上高は、当上期の1,361百万円を上回る1,682百万円を見込む。

同社は2020年12月に予定している自社販売の開始および2021年12月期の黒字化達成、そして、2021年12月期上半期に予定しているプリンシドフォビルのグローバル第Ⅱ相試験の開始準備に向け必要な投資を最優先におき、その他すべての経費の見直しを行うことで絞り込みを行う。これによって販売費及び一般管理費の減少を大幅に図ることで売上高減少分の影響を最小に抑え、その結果を営業利益の修正予想に反映した。

当期純利益は、2020年9月に開示した通り、ザ・メディシNZ・カンパニーが同社に495万米ドルを支払う旨の仲裁判断を当期純利益の修正予想に反映した。

中期経営計画の修正

2020年12月期～2022年12月期（3か年）中期経営計画において、2020年12月期計画値についても業績予想と同様に修正した。2021年および2022年の2か年に与える影響については、現在精査中としている。

2020年9月9日、同社は、トレアキシン液剤（急速静注製剤「RI製剤」）の治験に関する進捗（LPLV達成）について発表した。

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（以下「本試験」）において、目標症例数の登録後、すべての被験者の観察期間が完了（LPLV: Last Patient Last Visit）した。

RTD製剤は2019年12月期第3四半期に承認申請を完了し、2021年12月期第1四半期の発売を目指して準備中である。RI製剤は同試験終了後に承認申請を行い2022年12月期下半期の承認を予定している。

2020年9月7日、同社は、自社販売体制に向けた承継の開始について発表した。

同社は、2008年8月にエーザイ株式会社との間で締結したベンダムスチン（トレアキシン点滴静注用100mg/25mg）事業提携契約が2020年12月9日に契約満了を迎えるにあたり、抗悪性腫瘍剤「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の一貫として、エーザイとの承継作業を開始した。

また、自社流通体制の構築の一環として、同社は、株式会社スズケン（以下、スズケングループ）および東邦薬品株式会社（東邦ホールディングス株式会社の連結子会社、以下、共創未来グループ）と医薬品の売買に関する取引基本契約を締結完了した。

営業組織体制の確立

全国に医薬情報担当者51名の配置を既に完了し、今後、エーザイの協力のもと情報提供活動を開始することになる。同時に、各地域のニーズに合わせた企画立案を実施・展開する役目を担う専門性の高い「ヘマトロジー・エキスパート」を新たに設置する。

流通・物流体制の確立

全国流通体制においてはスズケングループと共創未来グループの2社を総代理店として取引を行い、物流センターは東日本と西日本の2拠点としスズケングループ傘下の株式会社エス・ディ・コラボとの取引を開始する。

2020年9月1日、同社は、自己疼痛管理用医薬品「SyB P-1501」のライセンサーであるザ・メディシンズ・カンパニーに対する仲裁の最終結果に関して発表した。

国際商業会議所（以下「ICC」）の規則に基づいて構成された仲裁廷が、The Medicines Company（以下「MDCO」）に対する同社の仲裁申し立てについて、最終判断が確定した。

仲裁廷は、MDCOがライセンス契約に基づく履行について十分な保証を提供しなかったという同社の主張を認めず、同社の損害賠償請求を否定したが、弁護士費用および諸費用の50%に相当する495万米ドルをMDCOが同社に支払う判断をした。なお、仲裁廷はMDCOの反対請求を否定した。

今後の見通しについて、同社は仲裁判断の最終結果を踏まえ、2020年12月期の業績予想に対する影響を精査するとしている。

2020年8月

2020年8月25日、同社は、オンコノバ社による高リスクの骨髄異形成症候群（HR-MDS）における第III相臨床試験「INSPIRE」のトップライン結果の開示について発表した。

同社が開発中の抗がん剤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）は、2020年8月24日に高リスクのMDS（HR-MDS）患者を対象としたリゴセルチブの静脈内投与の有効性と安全性を評価するオンコノバ社の第III相試験（INSPIRE試験）が、医師選択療法との比較において主要評価項目を達成しなかったことを発表した。

同試験の主要評価項目は全生存期間であり、リゴセルチブ点滴静注＋最善の支持療法と医師選択療法（PC）＋最善の支持療法を比較した。また、超高リスク（VHR-MDS）患者のサブグループについても、事前に規定された解析を行った。

INSPIRE試験のintent-to-treat解析では、リゴセルチブ静注群の全生存期間は6.4ヵ月、PC群では6.3ヵ月（ $p=0.33$ ）であったことが明らかになった。VHR-MDSサブグループの全生存期間についても、両群間で有意差は認められなかった。オンコノバ社はさらに追加解析を行っている。

安全性解析では、リゴセルチブ静注は概ね良好な忍容性を示し、報告された有害事象はMDSを対象としたリゴセルチブ静注の過去の臨床試験で観察されたものと同様のものであった。重篤な有害事象（SAE）は比較的稀で、両群間で同様のプロファイルを示した。

2020年8月5日、同社は、自己疼痛管理用医薬品「SyB P-1501」のライセンサーであるザ・メディシンズ・カンパニーに対する仲裁の判断に関して発表した。

同社は、ザ・メディシNZ・カンパニー（以下、MDCO）に対する仲裁の判断を7月23日に受領した。これは、同社がMDCOの契約違反により同社に生ずる損害賠償（82百万米ドル）を求めることを目的とした2017年10月11日の申し立てに関するものである。国際商業会議所の規定に基づく仲裁の判断が7月21日になされ、弁護士経由で7月23日に受領した。

仲裁判断の要旨

仲裁廷は、同社が主張した損害賠償請求を認めなかったものの、同社が要求した仲裁手続きにかかる弁護士費用を含めた諸費用の50%を、MDCOが同社に支払うよう判断した。一方、仲裁廷はMDCOによる反対請求および関連費用の請求は一切認めなかった。なお、上記の諸費用の金額については現在精査が行われており、最終確定までには数週間程度を要する見込みである。

2020年7月

2020年7月13日、同社は、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トレアキシN®とポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に関する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N®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）について、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（以下、再発・難治性DLBCL）を対象としたベンダムスチンとポラツズマブ ベドチン、リツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。

ポラツズマブ ベドチンとベンダムスチン、リツキシマブ（以下「BR療法」）との併用療法を検討した国内外の臨床試験を基に、中外製薬株式会社が再発・難治性DLBCLを対象として2020年6月29日に製造販売承認申請を行った。

この申請に先立ち、BR療法については、同社が実施した再発・難治性DLBCLを対象とした第III相試験で主要評価項目の奏効率において期待奏効率を上回る結果が得られたことを基に、2020年5月に製造販売承認事項に係わる一部変更承認申請を行った。2020年7月現在独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）により審査が行われている。

同社および中外製薬の申請について、双方とも承認取得後、ポラツズマブ ベドチンが薬価収載され次第、ポラツズマブ ベドチンとBR療法との併用において「トレアキシN®」の使用が可能となる。

大株主

大株主の状況	所有株式数 (株)	割合
陸山 恭一	1,020,000	2.7%
吉田 文紀	900,000	2.4%
株式会社SBI証券	744,310	1.9%
CEPHALON, INC. セファロン インク	647,250	1.7%
高橋 新	534,000	1.4%
黒田 典宏	447,500	1.2%
松井証券株式会社	310,600	0.8%
江平 文茂	270,200	0.7%
今村 均	239,300	0.6%
エーザイ株式会社	208,350	0.5%
計	5,321,510	13.9%

出所：会社データよりSR社作成

2020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

2020年12月末時点における同社の従業員数は127名である。

従業員数 (人)	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 単独	20年12月期 単独
従業員数	71	76	72	69	74	77	78	90	107	127
増減	15	5	-4	-3	5	3	1	12	17	20

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。

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。

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（ひホジキンリンパしゅ）

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

侵襲性の（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
代表電話番号	虎ノ門30森ビル
03-5472-1125	上場市場
設立年月日	東証JASDAQグロース
2005年3月25日	上場年月日
HP	2011年10月20日
http://www.symbiopharma.com/index.html	決算月
IRページ	12月
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。

アイベット損害保険株式会社	株式会社カオナビ	鎗茂器工株式会社	株式会社ハウストゥ
あいホールディングス株式会社	株式会社カナミックネットワーク	生化学工業株式会社	伯東株式会社
株式会社アイモバイル	兼松株式会社	株式会社セリア	株式会社ハビネット
株式会社アクセル	亀田製菓株式会社	株式会社セレス	Hamee株式会社
株式会社アジパンコスメジャパン	株式会社 CARTA HOLDINGS	ソレイジア・ファーマ株式会社	株式会社ハーモニック・ドライブ・システムズ
株式会社アズーム	カルナビオサイエンス株式会社	ソースネクスト株式会社	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
アズビル株式会社	ギグワークス株式会社	第一稀元素化学工業株式会社	株式会社ビー・シー・エー
アズワン株式会社	キャノンマーケティングジャパン株式会社	太陽ホールディングス株式会社	株式会社ピースリー
株式会社アドバンスクリエイト	株式会社キャリアデザインセンター	株式会社高島屋	株式会社ビジョナリーホールディングス
アニコムホールディングス株式会社	株式会社キャンパス	株式会社ダイキアクシス	株式会社ビジョン
アネスト岩田株式会社	キュービーネットホールディングス株式会社	株式会社タイセキ	BEENOS 株式会社
A P A M A N 株式会社	株式会社グッドコムアセット	タイワボウホールディングス株式会社	ビジョン株式会社
株式会社アパント	クミアイ化学工業株式会社	中国塗料株式会社	株式会社ビーロット
株式会社あらた	KLab株式会社	銀理株式会社	ファーストブラザーズ株式会社
アルインコ株式会社	グランディハウス株式会社	株式会社チヨダ	株式会社ブイキューブ
アンジェス株式会社	株式会社クリーク・アンド・リバー社	都築電気株式会社	フィールズ株式会社
and factory株式会社	ケイアイスター不動産株式会社	株式会社ツルノホールディングス	株式会社フェイスネットワーク
アンリツ株式会社	株式会社GameWith	株式会社ダイクアンドギブ・ニース	株式会社フェローテックホールディングス
アース製薬株式会社	株式会社ゲームカード・ジョイコホールディングス	株式会社ディア	株式会社 フージャース ホールディングス
アーツパークホールディングス株式会社	株式会社ココカラファイン	株式会社TKC	フリービット株式会社
株式会社アイエローハット	コタ株式会社	株式会社 ティーケーピー	株式会社ブロードリーフ
イオンディライト株式会社	コムシスホールディングス株式会社	DIC株式会社	ベース株式会社
株式会社イオンファンタジー	コンドールテック株式会社	デジタルアーツ株式会社	株式会社ベネフィット・ワン
株式会社イグニス	株式会社ザッパラス	株式会社デジタルガレージ	株式会社ベールパーク
株式会社Eストアー	サトーホールディングス株式会社	株式会社出前館	HENNGE株式会社
伊藤忠エクスプレス株式会社	株式会社サンニクス	株式会社テンポノベーション	株式会社ホープ
株式会社イトクロ	株式会社サンパークワークス	株式会社ドウシヤ	ホソカワミクロン株式会社
株式会社IDOM	サンネクスグループ株式会社	株式会社TOKAIホールディングス	株式会社北國銀行
稲畑産業株式会社	サンバイオ株式会社	トーカーロ株式会社	株式会社ボルテージ
株式会社インテリジェントウェイブ	三洋貿易株式会社	東洋インキSCホールディングス株式会社	株式会社マーキュリアインベストメント
インフォコム株式会社	株式会社サンリオ	東洋炭素株式会社	松井証券株式会社
株式会社インフォマート	株式会社編学	東洋紡株式会社	マネックスグループ株式会社
AI inside 株式会社	株式会社シグマクシス	株式会社ドリムインキュベータ	株式会社マルマエ
株式会社エアトリ	シップヘルスクアホールディングス株式会社	株式会社トリステージ	株式会社 三城ホールディングス
株式会社エシジヤ	株式会社SHFFT	内外トランスライン株式会社	株式会社ミラライト・ホールディングス
株式会社エイチチーム	株式会社シンクロ・フード	長瀬産業株式会社	株式会社メタップス
エイチ・ツー・オー リテイリング株式会社	シンバイオ製薬株式会社	ナノキャリア株式会社	メドピア株式会社
株式会社エス・エム・エス	株式会社シアールイー	日医工株式会社	株式会社メディアドゥ
SBS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	日進工具株式会社	株式会社メディカルシステムネットワーク
株式会社エディオン	株式会社ジェイ・エス・ビー	日清紡ホールディングス株式会社	株式会社メディネット
NECネットエスアイ株式会社	株式会社JMDC	日総工業株式会社	森永乳業株式会社
株式会社FPG	株式会社ジェイテックコーポレーション	ニプロ株式会社	株式会社ユーグレナ
MRT株式会社	Jトラスト株式会社	日本KFCホールディングス株式会社	株式会社吉野家ホールディングス
エレコム株式会社	株式会社JPホールディングス	日本工営株式会社	RIZAPグループ株式会社
エン・ジャパン株式会社	ジャパンベストレスキューシステム株式会社	日本商業開発株式会社	株式会社ラウンドワン
オイシックス・ラ・大地株式会社	株式会社ジャフコ	日本調剤株式会社	株式会社ラクーンホールディングス
株式会社大泉製作所	GCA株式会社	日本駐車場開発株式会社	株式会社ラックランド
沖電気工業株式会社	スター・マイカ・ホールディングス株式会社	日本電計株式会社	リソートトラスト株式会社
株式会社小野測器	株式会社ストライク	株式会社ネットマーケティング	株式会社良品計画
オルパヘルスクアホールディングス株式会社	株式会社スノーピーク	株式会社日本マイクロニクス	レーザーテック株式会社
株式会社オンワードホールディングス	株式会社スペースバリューホールディングス	日本モーゲーサービス株式会社	株式会社レーサム
株式会社オークファン	株式会社スリー・ディー・マトリックス	ネットワンシステムズ株式会社	株式会社ロコンド
			株式会社ワールドホールディングス

※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委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。

ディスクレーマー：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