

2020年2月6日

会社名 シンバイオ製薬株式会社  
代表者名 代表取締役社長兼CEO 吉田文紀  
(コード番号: 4582、JASDAQグロス)  
問合せ先 執行役員財務経理部長兼CFO 福島 隆章  
(TEL. 03-5472-1125)

## 2020年12月期～2022年12月期(3か年)中期経営計画

当社は、2020年12月期～2022年12月期に係る中期経営計画を策定しましたのでお知らせいたします。

なお、当該資料について、当社のウェブサイトに掲載いたします。

U R L	<a href="https://www.symbiopharma.com/">https://www.symbiopharma.com/</a>
掲 載 日	2020年2月6日

### 1. 今後3ヶ年の中期経営計画

#### (1) 当中期経営計画提出時点における前事業年度の総括

前事業年度(2019年1月1日～2019年12月31日)における当社事業の進捗状況は以下のとおりです。

##### ① 国内事業

[製品の不良品問題について]

当社は、2019年8月7日に公表した業績予想修正の理由に記載しましたように、トレアキシン®の国内販売においてアステラス製薬株式会社の連結子会社であるアステラス ドイツランド社(以下「アステラスドイツ」という)から輸入した凍結乾燥注射剤において異物の混入及び外観不良などが両者間で締結した供給契約で定めた品質基準を著しく超えた割合で認められたことを受けて、当社から販売委託先のエーザイ株式会社へのトレアキシン®100mg製剤の出荷時期が当初の予定よりも遅延しました。この影響により当事業年度の売上高は、2,837,753千円となり、当初計画比36.4%の減少、営業損失は4,301,615千円(当初計画は営業損失3,587百万円)となりました。

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

もに代替バッチの製造と迅速な出荷を強く要求した結果、現在代替バッチの供給を受けておりますが、一部代替バッチの不安定な納期と継続する高い不良品率により、依然、トリアキシンの在庫レベルは低い状況が続いており、当社はアステラスドイツに対して供給元としての責務を果たすよう引き続き強く要請しております。当社は、製薬企業の使命である高品質の医薬品の安定的供給の責任を果たすべく、アステラスドイツへ改善を求めることを含めて協議を継続してまいります。これに対してアステラスドイツはCAPA(改善措置・予防措置)プログラムを設置しておりますが、その有効性については現時点では確認ができておりません。

#### [ 自社販売体制の構築について ]

当社は、販売委託先であるエーザイ株式会社（以下「エーザイ」という）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月よりトリアキシンの国内販売について自社による販売体制構築の準備を開始しました。2021年度の収益化とその後の収益の持続的拡大は当社にとっては最重要課題であり、自社販売体制への移行により今後の事業展開を盤石なものとすることを計画しています。

当事業年度においては、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リアキシスマネージャーの増員と研修を計画通りに実施した上で、2019年7月より各トリアキシスマネージャーが担当地域に根ざした情報提供活動を開始しており、2020年度上半期の全国営業組織の構築完了に向けて着実に進展しました。当第4四半期においては、全国営業組織完成に必要なリージョナルセールスマネージャーとトリアキシスマネージャーを追加採用したことに加えて、流通及び物流機能を整備すべく医薬品卸売業者との業務提携及び物流センターの東日本地域と西日本地域の2拠点化の確立についても大きな進捗を達成しております。さらには社内のインフラ整備としてERPを含めた情報システムについても鋭意準備を進めており、これらの活動により、当社が目指すより高度の専門性と豊富な経験に基づき高い生産性に裏付けられたハイパフォーマンスの営業組織の構築は順調に進捗しました。

#### [ 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、製品名：トリアキシン®） ]

トリアキシン®については現在、業務提携先のエーザイを通じ、国内販売をしています。未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2016年12月に製造販売承認を取得）、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫<sup>(注1)</sup>（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）（2010年10月に製造販売承認を取得）、慢性リンパ性白血病（CLL）（2016年8月に製造販売承認を取得）を適応症として悪性リンパ腫領域においては幅広く使われております。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リアキシン®とリツキシマブの併用療法（BR療法）が新たに収載され、既承認のすべての適応症において、標準的治療の選択肢として推奨されることになりました。これにより名実ともに悪性リンパ腫における標準療法としてトリアキシン®が位置づけられました。高い専門性を具備した自社販売体制に切り替えることにより欧米並みの高い市場占有率を達成することを計画しております。

本剤については、既に承認を取得した適応症に加え、4つ目の適応症である再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）の第Ⅲ相臨床試験を実施し、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良好な結果が得られたことを発表しました。現在、2020年第2四半期に向けて承認申請を行うべく申請の準備に入っております。本適応症の追加については、優れた標準療法がないことから医療現場

の切実なニーズがあり患者団体並びに関係学会からも審査当局に対してBR療法を使えるようにして欲しいという強い要望書が出ておりました。

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製剤及びRI製剤<sup>(注2)</sup>）に関して日本における独占的ライセンス契約を締結しております。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年第1四半期を発売時期と想定しております。RI製剤につきましては2018年11月に安全性の確認を主目的とした治験を開始し、2019年4月の最初の患者登録以来、症例集積は順調に進捗しており2020年1月末時点で31症例の登録が完了しております。当治験終了後に早期に承認申請を行った上で2022年上半期の発売を目指しています。本製剤は、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分間と大幅に短縮されるため患者さんと医療従事者の負担を大幅に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ます。更には、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り開発戦略を含めて事業価値の最大化を図ってまいります。

また、2018年7月には製造販売承認事項に係わる一部変更の承認を取得したことにより、低悪性度NHLの代表的な組織型であるCD20陽性の濾胞性リンパ腫（FL）に対して、リツキシマブのみならず新規の抗CD20抗体製剤との併用が可能となり、新たな治療選択肢として2018年8月に販売開始されたオビヌツズマブ<sup>(注3)</sup>との併用療法が患者さんに提供されております。また、2019年3月に腫瘍特異性T細胞輸注療法<sup>(注4)</sup>の前処置に関する一部変更の承認を取得したことにより、2019年5月に薬価収載された国内初のキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法<sup>(注5)</sup>「キムリア®点滴静注」<sup>(注6)</sup>の前処置としてトレアキシン®の使用が可能となりました。再生医療等製品の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®の位置づけがより強固なものとなりつつあります。

なお、トレアキシン®の更なる可能性を探求するため実施していた進行性固形がんを対象とした第I相臨床試験および全身性エリテマトーデス（SLE）に対する治療効果の確認を目的とした前臨床試験については完了し当初の試験目的は達したものの開発は中止を決定しました。限られた経営資源を最大限に活用することを鑑み、事業戦略的な判断により新規にライセンスを取得した後述の抗ウイルス感染症治療薬布林シドフォビルの国内及び海外における開発を優先させることにしました。

(注1) 非ホジキンリンパ腫とは、白血球の中のリンパ球ががん化した悪性腫瘍である悪性リンパ腫のうち、ホジキンリンパ腫以外の総称です。日本人の悪性リンパ腫では、大半を非ホジキンリンパ腫が占めています。

(注2) RTD製剤及びRI製剤は、従来の凍結乾燥注射剤（FD）とは異なり既に液化された製剤です。RTD製剤（Ready To Dilute）は調剤作業を大幅に低減し、さらに急速静注であるRI製剤（Rapid Infusion）により点滴時間を従来の60分間から10分間に短縮することにより、FD製剤に比べ患者さんの負担を大幅に軽減し、さらには医療従事者に大きな付加価値を提供することが可能になります。

(注3) オビヌツズマブ（ガザイバ®：販売元 中外製薬株式会社）：非ホジキンリンパ腫の治療薬として国内外の治療ガイドラインで推奨されているリツキシマブと同様、幹細胞や形質細胞以外のB細胞上に発現するタンパク質であるCD20に結合する、糖鎖改変型タイプII抗CD20モノクローナル抗体で、標的となるB細胞を直接、および体内の免疫系とともに攻撃し、破壊するようデザインされています。

(注4) 腫瘍特異性T細胞輸注療法とは、がん患者さん自身の腫瘍特異的T細胞（がん細胞を特異的に認識するT細胞）に、体外で人工的にがん特異性を付与し、細胞を増幅した後に患者さんに投与する療法です。

(注5) キメラ抗原受容体T細胞 (CAR-T) 療法は、腫瘍特異性T細胞輸注療法の中でも、腫瘍細胞上の膜抗原を認識する抗体の抗原結合部位とT細胞受容体の細胞内ドメインを組み合わせたキメラ抗原受容体(chimeric antigen receptor; CAR)をコードする遺伝子をT細胞に導入して増幅・輸注する療法です。CARの標的としてB細胞上に発現するCD19を用いた臨床試験では、B細胞性腫瘍患者にCD19指向性CAR導入T細胞が投与され、著明な臨床効果が得られています。

(注6) キムリア®点滴静注 (一般名 チサゲンレクルユーセル：販売元 ノバルティスファーマ株式会社)：国内で初めて承認されたキメラ抗原受容体T細胞 (CAR-T) 療法で、再発又は難治性のCD19陽性のB細胞性急性リンパ芽球性白血病 (B-ALL) および再発又は難治性のCD19陽性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL) を適応症として2019年3月に製造販売承認を取得し、2019年5月に薬価収載されました。

[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 (本社：米国ペンシルベニア州、以下「オンコノバ社」という) が実施している国際共同Ⅲ相臨床試験の日本における臨床開発を当社が担当しており、国内では2015年12月に試験が開始され、2019年12月末時点で48症例が登録されています。本試験は、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ヶ国以上が参加して実施中です。オンコノバ社の2019年12月の発表によれば、2019年11月時点で全世界における目標の360症例に対して症例集積が90%を超えており、トップライン (主要評価項目) の結果を2020年度上半期に報告するとしております。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ます。

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<sup>(注7)</sup>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ます。当社はリゴセルチブ経口剤の日本人での忍容性及び安全性を確認するために2017年6月に国内第Ⅰ相臨床試験を開始し、2017年10月の最初の患者登録以来着実に症例集積を推し進め、2019年6月に症例登録を完了しました。同試験終了後、アザシチジンとの併用の第Ⅰ相試験を速やかに実施し、リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うべく、現在オンコノバ社が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試験に参加する予定です。本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 (ASH: The American Society of Hematology) 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は2019年12月に発表しております。

(注7) アザシチジン (ビダーザ®：販売元 日本新薬株式会社)：2011年にMDSに対するⅢ相臨床試験において、初めて生存期間の延長が認められたことから承認された低メチル化剤 (注射用) で、現在、造血幹細胞移植が難しいMDS患者に対する第一選択薬として使用されています。MDSは一種の前白血病であり、その病態にはDNAの過剰なメチル化による癌抑制遺伝子の発現の低下が大きく関係していると考えられています。アザシチジンなどの低メチル化剤はDNAのメチル化を阻害する作用により癌抑制遺伝子の発現を回復させ白血病への進行を抑えると考えられています。

[抗ウイルス感染症治療薬 SyB V-1901 (一般名：Brincidofovir<ブリンシドフォビル>)]  
当社は2019年9月30日にキメリックス・インク社 (本社：米国ノースカロライナ州、以下

「キメリックス社」という)との間で抗ウイルス感染症治療薬布林シドフォビルの注射剤及び経口剤 (SyB V-1901、以下各々「BCV IV」及び「BCV Oral」という) (注8) についての独占的グローバルライセンス契約を締結しました。当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ことにより、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市場を対象として事業展開をするスペシャリティファーマへの転換を進めてまいります。

開発については、国内においてはBCV IVにより「空白の治療領域」となっている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) (注9) を最初の疾患ターゲットとし、本剤を必要とする患者さんに一日も早く提供できるよう、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ります。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ってまいります。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にわたり広く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おります。日本市場に比べ臓器移植の市場規模が大きい欧米市場及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現在検討中です。2016年5月に設立した100%出資の米国子会社 Symbio Pharma USA, Inc. (本社：米国カリフォルニア州メンローパーク) の戦略的活用も含めて事業価値最大化の可能性を追求してまいります。BCV Oralにつきましては、今後、製剤改良を含めて開発計画を検討してまいります。BCV IV及びBCV Oralの2製剤の今後のグローバルの開発展開については、現在、海外の各専門領域の有力な研究者の方々と検討中です。本剤について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してまいります。

(注8) ブリンシドフォビル (BCV) は、シドフォビル (CDV、欧米では既承認・販売の抗ウイルス感染症治療薬、本邦は未承認) に脂肪鎖 (ヘキサデシルオキシプロピル：HDP) が結合した構造となっており、速やかに脂質二重膜へ取り込まれ効率よく細胞内へ移行した後、細胞内ホスホリパーゼによる代謝によって脂肪鎖が切り離され、生成された活性化体 (CDV-PP:CDV diphosphate) が細胞内で長時間保持される結果、抗ウイルス活性が飛躍的に向上した化合物です。また、HDP結合により、OAT-1トランスポーターによる腎尿細管上皮細胞への蓄積が生じないことに加え、CDVが血中に遊離するレベルは低いため、CDVの根本的問題であった腎毒性を回避できます。

(注9) 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、BKウイルスおよびアデノウイルスによる出血性膀胱炎は、頻尿、腹痛、排尿痛などが患者を苛み、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治療に難渋するケースが少なくありません。重症化すると播種性の感染症を来して致死性となる例や腎不全をもたらして致死となる例も報告されています。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す。

[自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501]

当社が2015年10月にザ・メディシNZ・カンパニー社 (本社：米国ニュージャージー州、契約の相手先は同社完全子会社であるインクライン・セラピューティクス社) から導入したSyB P-1501については、同社の本製品の事業の継続性について当社が懸念を抱く事象が生じたため、患者さんの利益を最優先する観点から2017年4月21日より新規症例登録を一時的に中断しておりました。

その後、当社は2017年10月11日に、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（約90億円）の支払い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、同社が欧米市場で本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当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ます。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、本製品の開発は2018年2月9日に中止しました。

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す。なお、2020年1月6日にノバルティス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ております。

## ② 海外事業

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、当社の製品売上は計画を上回る水準で順調に推移しました。

## ③ 新規開発候補品の導入

当社は常時複数のライセンス案件を検討しており、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の継続的な実施を通じてパイプラインの拡充を行うことにより、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業として長期的な事業価値の創造を目指しております。

また、100%出資の米国子会社 Symbio Pharma USA, Inc. をグローバル事業の拠点として新薬候補品の全世界におけるライセンス権利を積極的に取得することにより、米国、日本、欧州をはじめとする主要市場において開発・商業化を目指して、グローバル・スペシャリティファーマへの転換を進めてまいります。

## ④ 経営成績

以上の結果、当事業年度の売上高は、トレアキシN®の製品販売等により、2,837,753千円となり、売上高全体で前年同期比26.0%減少となりました。

一方、販売費及び一般管理費は、新規開発品である抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの導入にかかる契約一時金、トレアキシN®の注射剤、経口剤及びリゴセルチブの注射剤、経口剤の臨床試験費用が発生したこと等により、研究開発費として2,441,552千円（前年同期比33.2%増）を、その他の販売費及び一般管理費として2,724,814千円（前年同期比36.5%増）を計上したこと等から、合計で5,166,366千円（前年同期比34.9%増）となりました。

これらの結果、当事業年度の営業損失は4,301,615千円（前年同期は営業損失2,656,072千円）となりました。また、受取保険金2,736千円を主とする営業外収益4,331千円を計上した一方、為替差損54,755千円、株式交付費13,932千円、支払手数料10,457千円を主とする営業外費用79,372千円を計上したこと等により、経常損失は4,376,655千円（前年同期は経常損失2,748,730千円）、当期純損失は4,376,258千円（前年同期は当期純損失2,752,533千円）となりました。

## (2) 中期経営計画の概要及び策定の背景

当社は、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」（共に創り、共に生きる）の経営理念で結び、アンメット・メディカル・ニーズ（Unmet Medical Needs）に応えていくことにより、社会的責任及び経営責任を果たすことを事業目的としています。

当社は、極めて医療上のニーズは高いものの、新薬の開発が遅れている空白の治療領域をビジネスチャンスと捉え、特に、高い専門性が求められ難度が高いために参入障壁の高いがん及び血液領域を中心とした日本初のスペシャリティファーマです。当社は、大型新薬（いわゆる売上高が1,000億円を超える「ブロックバスター」）の追求ではなく、マーケットは相対的に小規模でも医療ニーズの高い希少疾病分野を中心とした新薬開発に取り組み、これらの医薬品及び新薬候補品を数多く保有することにより、強固なパイプライン・ポートフォリオを構築し、高付加価値で高収益を達成し、持続性のある事業展開を行います。

当社の中期経営計画（2020年12月期～2022年12月期）につきましては、計画期間を3年間として、2020年度に自社販売体制の構築を完了し、2021年度には、年初より本格稼働する自社販売体制の下で、トレアキシシ<sup>®</sup>RTD 製剤の発売後凍結乾燥品からの早期切り替え、再発・難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加後の市場浸透拡大、トレアキシシ<sup>®</sup>の市場における薬価ベースでの年間売上高100億円の早期達成等により、必達目標である2021年度の収益化を実現し、それに続く2022年度においても成長を持続させることを最優先の経営目標に掲げております。開発パイプラインにおいては既存のプロジェクトを着実に推進することに加えて、新規導入品である抗ウイルス感染症治療薬プリンシドフォビルの日本及びグローバルでの開発に着手し、グローバルに事業を展開するスペシャリティファーマへの転換を推進することを前提に計画を策定しました。計画の概要は以下の通りです。

- ▶ 2021年度の収益化とそれ以降の持続的な成長の実現を目指して、2020年12月のエーザイとの事業提携契約の満了次第、2021年初から自社販売体制を始動する。
  - 自社販売体制における全国営業組織の構築を2020年上半期に完了し、エーザイからの引継ぎを終えて2021年初から高度の専門性と豊富な経験に基づき高い生産性に裏付けられたハイパフォーマンスの血液領域専門チームによる自社販売体制の本格稼働を開始する。
  - 全国営業展開に伴う物流・流通インフラ整備とシステム構築を2020年上半期に完了し、物流の効率性とリスク管理を兼ね備えた確固とした自社販売流通体制の下での製品の安定供給を盤石なものとする。
- ▶ トレアキシシ<sup>®</sup>の事業価値の最大化を図るべく、以下の取り組みを通じ持続的な収益性と成長性を確保する。
  - 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においてさらなる市場浸透を進め、2020年末時点でのシェア64%達成を目指す。2019年2月7日発表の中期経営計画（「前中期経営計画」）における2020年末時点での想定シェア70%に対し、直近の状況に鑑みて下方修正するものの、その減少分を最小限に抑えるべく市場浸透を着実に進めるために鋭意努力を続ける。
  - 適応症の拡大：再発・難治性びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫を適応症とした第

Ⅲ相臨床試験を終了した後、2020年第2四半期の承認申請を行い、2021年第3四半期に販売を開始する。

- 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、現行の凍結乾燥品から液剤への切り替えを2021年末には95%まで進め、2022年始より100%切り替えの早期達成を目指す。RI製剤は2022年上半期に発売し、更なる製品価値最大化を実現する。
- 新規導入品である抗ウイルス感染症治療薬ブリンシドフォビルにおいて、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た注射剤による日本での臨床開発を2020年後半に世界に先駆けて開始することを目標とする。注射剤が広く使われることが考えられる臓器移植の市場規模が日本と比べて大きい欧米市場及び中国市場を含めたアジア地域での事業展開を睨んだグローバルの臨床試験については2022年前半に開始することを目指し、1日でも早く1人でも多くの患者さんへ貢献すると同時に事業価値を最大化すべく、パートナーシップの戦略的活用を含めて開発・製造・商業化の計画を推進する。
- トレアキシン®に次ぐ開発品目として、リゴセルチブ注射剤及び経口剤の臨床試験を進め、注射剤については2022年第4四半期の承認取得を目指すことで、企業成長力を高め収益機会を拡充する。
- 長期的な成長機会を確保するため、ブリンシドフォビルに続く新規開発候補品を積極的に探索・評価し、ライセンス確保の検討を継続する。



## (3) 事業の進捗状況及び今後の見通し並びにその前提条件

## ○ 自社販売体制の構築

- ▶ 現在トリアキシシ<sup>®</sup>の国内販売をエーザイに委託しておりますが、より一層社会に貢献するスペシャリティファーマを実現するため、自社販売体制に移行するための準備を開始しております。本中期経営計画においては、2021年度の収益化と2022年度の持続的成長を最優先の経営目標とし、2020年12月のエーザイとの事業提携契約満了後の2021年よりトリアキシシ<sup>®</sup>を自社販売することを想定しています。自社で専門的な情報提供を行うことによって市場のニーズをよりの確に把握しかつ迅速に応えることが可能となり、患者さんの利益に資すると共にトリアキシシ<sup>®</sup>が持つ事業価値の最大化を図ります。さらに血液疾患領域に特化した専門性の高い一貫した営業・マーケティング組織を構築することにより、トリアキシシ<sup>®</sup>に加えて現在開発中のリゴセルチブ（注射剤及び経口剤）が販売品目に加わった際にはより高い事業効率を達成し、収益の持続的拡大及び株主利益の最大化を果たしてまいります。

○ 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、製品名：トリアキシシ<sup>®</sup>）

- ▶ トリアキシシ<sup>®</sup>については、2010年12月にエーザイを通じて販売を開始して以降、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売上が堅調に推移しておりましたが、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、同年8月に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後は特に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫の領域での浸透により売上高が大幅に伸長しております。2018年7月に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にトリアキシシ<sup>®</sup>とリツキシマブの併用療法（BR療法）が標準的治療の選択肢として新たに収載され、名実ともに標準療法の位置づけを確立しつつあります。
- ▶ 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は、2019年11月に第Ⅲ相臨床試験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良好な結果が得られたことを発表しておりますが、今後、2020年第2四半期には承認申請を行い、2021年第3四半期に発売することを予定しております。
- ▶ トリアキシシ<sup>®</sup>液剤製品については、特許保護による製品ライフサイクルの大幅な延長を通じた利益の最大化を図るべく、RTD製剤を2021年第1四半期に発売し、現行の凍結乾燥品から液剤への切り替えを2021年末には95%まで進め、2022年始より100%切り替えの早期達成を目指してまいります。RI製剤は2022年上半期に発売し、更なる製品価値の最大化を実現することを計画しております。
- ▶ エーザイとの現事業提携契約に基づく協働体制の下、2020年末までにエーザイから販売及び流通に関する業務の着実な引継ぎを完了し、2021年からの自社販売体制の始動に向けて円滑な移行を実現してまいります。2021年始から稼働開始した自社販売体制の下で、上記の再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加とトリアキシシ<sup>®</sup>液剤製品による製品ライフサイクルの延長の取り組みを着実に進めると共に、トリアキシシ<sup>®</sup>の市場における薬価ベースでの年間売上100億円の早期達成を目指してまいります。

- 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、引き続きオンコノバ社との協働の下、国際共同第Ⅲ相臨床試験（INSPIRE 試験）を進め、再発・難治性の高リスク骨髄異形成症候群（MDS）を適応症として2022年第4四半期の製造販売承認取得を目指してまいります。
  - リゴセルチブ経口剤についても欧米に遅れることなく日本での承認申請を行うべく、現在オンコノバ社が計画している初回治療の高リスク MDS を対象としたアザシチジンとの併用による国際共同試験に参加する予定です。
  
- 抗ウイルス感染症治療薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir<ブリンシドフォビル>）
  - 「空白の治療領域」となっている医療ニーズの高い造血幹細胞移植後のウイルス性膀胱炎（vHC）を最初の疾患ターゲットとして、注射剤（BCV IV）の日本での開発を2020年後半に開始することを目標としております。BCV IV が広く使われることが考えられる臓器移植の市場規模が日本と比べて大きい欧米市場及び中国市場を含めたアジア地域での事業展開を睨んだグローバル展開については疾患ターゲットの検討を含め臨床試験の計画を策定後、2022年前半にグローバルの臨床試験を開始することを図ってまいります。また、BCV IV だけでなく経口剤（BCV Oral）の製剤改良を含めた開発計画の検討を進めると同時に、パートナーシップの戦略的活用を含めて開発・製造・商業化の計画を推進することで、1日でも早く1人でも多くの患者さんへ貢献すると同時に事業価値最大化の可能性を追求してまいります。
  
- 自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501
  - 2015年10月5日にザ・メディシNZ・カンパニー（本社：米国ニュージャージー州）との間でSyB P-1501 導入のためのライセンス契約を締結しておりましたが、同社が欧米市場で本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当社に与えなかったことはライセンス契約の重大な違反であるとの判断の下、2017年10月11日に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（約90億円）の支払いを求める仲裁を申し立て、2017年11月30日付でライセンス契約を解除しました。その後2018年2月9日にはSyB P-1501の開発を中止しました。
  - ザ・メディシNZ・カンパニーとの仲裁手続きは現在も継続しておりますが、本中期経営計画の策定においては、保守的に収益を反映する観点から将来の仲裁の帰趨を予測した収益は見込んでおりません。
  
- 新規開発候補品の導入及びグローバル事業展開
  - 新規開発候補品については、常時、複数品目の評価を継続しております。当社の企業価値向上に資する候補品を見出し、しかるべきタイミングで導入交渉をしております。新規開発候補品の探索・評価及び交渉に当たっては今後、日本市場のみならずグローバルのライセンス権利を取得することも含めて検討を行います。

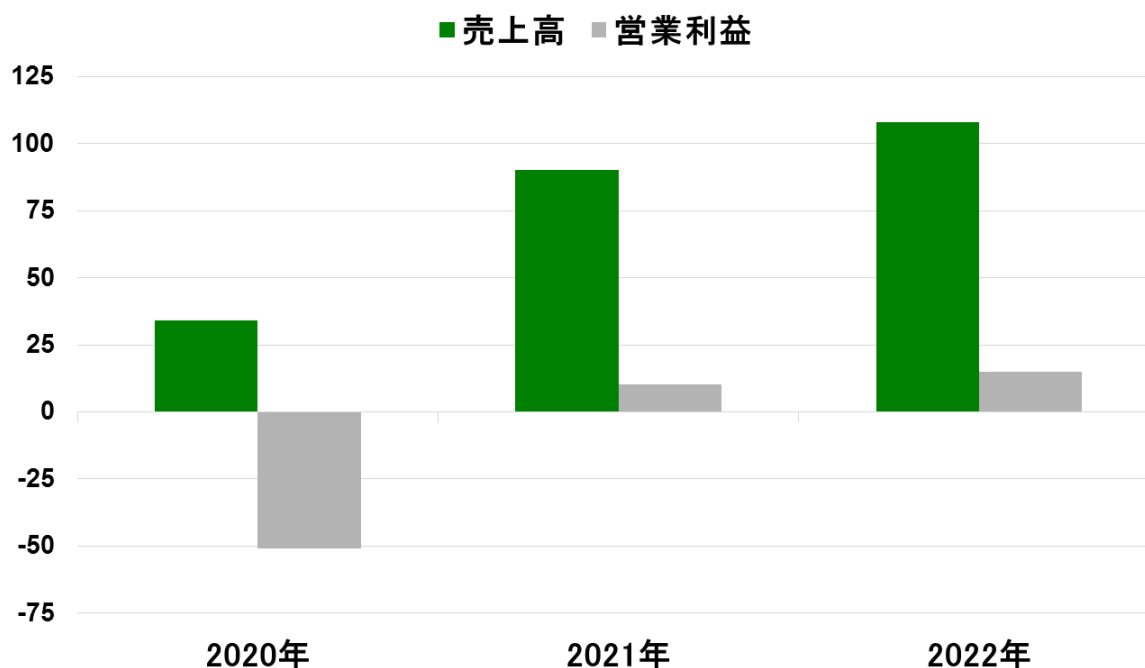
## 2. 今期の業績予想及び今後の業績目標

(単位：百万円)

	2020年 12月期予想	2021年 12月期目標	2022年 12月期目標
売上高	3,404	9,008	10,816
営業利益	-5,090	1,031	1,482
経常利益	-5,134	987	1,438
当期純利益	-4,803	1,356	1,717

## 【売上高、当期純利益の推移】

(単位：億円)



【開発パイプラインの状況】

- ◆ 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、製品名：トレアキシシ®）
- ◆ 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>）

開発品目	適応症	第 I 相試験	第 II 相試験	第 III 相試験	申請	承認
トレアキシシ® 凍結乾燥品 (FD)	再発・難治性 低悪性度NHL/MCL	2010年10月 承認済				
	慢性リンパ性白血病	2016年8月 承認済				
	未治療 低悪性度NHL/MCL	2016年12月 承認済				
	再発・難治性 中高悪性度NHL (r/r DLBCL)	主要評価項目を達成 → 承認申請準備				
液剤トレアキシシ® RTD	全適応症	2019年9月 承認申請完了				
液剤トレアキシシ® RI	全適応症	臨床試験症例 登録中				
プリンシドフォビル 注射剤	造血幹細胞移植後の ウイルス性出血性膀胱炎(日本)	国内臨床試験開始の準備				
プリンシドフォビル 注射剤	造血幹細胞移植後の ウイルス感染症(US/ EU/ ROW)	国際共同臨床試験開始の準備				
プリンシドフォビル 経口剤	製剤改良の開発	2020年製剤改良の開発着手				

- ◆ 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）

開発品目	適応症	第 I 相試験	第 II 相試験	第 III 相試験	申請	承認
リゴセルチブ 注射剤	再発・難治性 高リスクMDS 単剤	国際共同第III相試験 症例登録中				
リゴセルチブ 経口剤	再発・難治性 高リスクMDS	国内試験完了				
	未治療 高リスクMDS AZA併用	準備中				
	未治療 高リスクMDS AZA併用	国際共同第II/III相試験 準備中				

## 業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

- 売上高につきましては、トレアキシン®の製品売上がその大半を占めております。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、本計画期間の売上成長率を見直した結果を計上しております。
- 現在の当社売上高は販売委託先であるエーザイへの製品出荷売上がベースとして計上していますが、2021年以降の自社販売体制においては当社から医薬品卸業者への製品出荷売上がベースとした金額を計上しております。
- 2021年と2022年の売上高の算定においては、2021年第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®の製品売上の更なる拡大を想定した上で目標数値を開示しております。
- 販売費及び一般管理費につきましては、主に研究開発費、その他販売費及び一般管理費に区分されます。
- ▶ 研究開発費については、トレアキシン®及びリゴセルチブ注射剤と経口剤、そして抗ウイルス感染症治療薬ブ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て費用を計上しております。
  - ▶ 既存パイプライン以外の、抗ウイルス感染症治療薬ブリンシドフォビルに続く、新規開発候補品については、継続して評価・検討を進めるものの導入に関する一時金等の費用は計上しておりません。
  - ▶ 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ております。2021年からのトレアキシン®の自社販売に向けて、2020年以降、自社販売体制の構築・運営に係わる費用を計上しており、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おります。
- 当期純利益につきましては、収益化する2021年度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年度と2022年度の各年度において経常利益を上回る当期純利益を計上しております。
- 人員計画につきましては、2020年上半期に62名から成る全国営業組織の構築を完了し、2021年からの自社販売体制への移行に備えることを想定する一方で、それ以外の組織においては必要とされる人員配置を計画し、そのための人件費を計上しております。抗ウイルス感染症治療薬ブリンシドフォビルのグローバル展開に伴う増員計画については現時点では試験計画を検討中であり、当該計画期間においては現組織で対応可能と考えており人件費には反映しておりません。
- 資金計画につきましては2018年4月9日に第45回乃至第47回新株予約権の発行を機関決定しており、必要とされる事業資金を確保してまいります。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、資金調達手法の多様化の検討を行い、また予算管理の徹底を推進し、財務基盤の更なる強化に努めてまいります。

本開示資料は、投資者に対する情報提供を目的として将来の事業計画等を記載したものであって、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。

また、当社は、事業計画に関する業績目標その他の事項の実現・達成等に関し、その蓋然性を如何なる意味においても保証するものではなく、その実現・達成等に関して一切責任を負うものではありません。

本開示資料に記載されている将来に係る一切の記述内容（事業計画に関する業績目標も含まれますがそれに限られません。）は、現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、将来の経済環境の変化等を含む事業計画の前提条件に変動が生じた場合その他様々な要因の変化により、実際の事業の状況・業績等は影響を受けることが予想され、本開示資料の記載内容と大きく異なる可能性があります。