

2021年2月4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 執行役員兼 CFO 福島隆章
 (TEL. 03-5472-1125)

2021年12月期～2023年12月期(3か年)中期経営計画

当社は、2021年12月期～2023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	https://www.symbiopharma.com/
掲 載 日	2021年2月4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(2020年1月1日～2020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

[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ました。

当期においては、地域のニーズをくみ上げることで地域のニーズに合致したきめ細かい提案を企画し、より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名を各地域に配置しました。

また、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及び東邦薬品株式会社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、エーザイとの事業提携契約の満了後は両社を総代理店として取引を開始しました。全国物流体制の構築につきましては、株式会社エス・ディ・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ました。

これによって自社による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ともに、2020年12月には自社によるトレアキシンの販売体制へ移行しました。

当社にとって、2021年度の収益化とその後の収益の持続的拡大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は盤石なものとなりました。

〔製品の安定供給について〕

当社は、トレアキシシ[®]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」という）から輸入しております。当上半期においては、アステラスドイツから輸入した一部のバッチに異物の混入及び外観不良の問題が起り、前年同期と比べてトレアキシシ[®]のエーザイの在庫レベルは低い状態で推移していましたが、当下半期においては、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、その結果、現在の当社在庫は適正レベルに回復しました。

当第4四半期には、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、以下「イーグル社」という）よりライセンスを受け、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トレアキシシ[®]液剤（RTD製剤）の輸入及び総代理店への出荷を開始しました。

〔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またはベンダムスチン塩酸塩水和物、製品名：トレアキシシ[®]）〕

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）（注1）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NHL及び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レアキシシ[®]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トレアキシシ[®]が悪性リンパ腫における標準療法として位置づけられています。

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（注2）との併用療法が治療選択肢として提供されていることに加え、腫瘍特異性T細胞輸注療法（注3）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（注4）「キムリア[®]点滴静注」（注5）の前処置としてトレアキシシ[®]の使用が可能となっており、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シ[®]の位置づけはより強固なものとなっています。

既に承認を取得した適応症に続き、再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）を対象とする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良好な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一部変更承認申請を行っております。さらに、トレアキシシ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、本剤のDLBCL治療における位置付けに重要なデータとなるため、現在、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す。また、中外製薬株式会社（以下「中外製薬」という）が、r/r DLBCLを対象としたポラツズマブ ベドチン（注6）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て、2020年7月に当社はトレアキシシ[®]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いました。当社及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シ[®]の使用が可能となります。本追加適応症については、現在有効な治療方法がないため、救援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おりますが、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切望されております。またBR療法につきましては、既に欧米においては、r/r DLBCLの患者さんの治療に

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及び関係学会から厚生労働省に対して要望書が出ておりました。承認後、速やかに多くの患者さんの治療選択肢として浸透することを期待しております。

2017年9月にイーグル社との間で日本における独占的ライセンス契約を締結したトレアキシ[®]液剤（RTD製剤及びRI製剤（注7））については、2020年9月18日にRTD製剤の製造販売承認を取得し、2021年1月より販売を開始しました。RI製剤につきましては現在、安全性に関する臨床試験を実施中で、今年度中に承認申請の予定です。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、医療従事者の負担を大幅に低減することが可能となります。また、RI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[®]の製品寿命を2031年まで延長し、当社事業の成長基盤をより強固なものとする事が可能となります。

（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）オビヌツズマブ（ガザイバ[®]：販売元 中外製薬）：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3）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、体外で人工的な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4）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5）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。

（注6）ポラツズマブ ベドチン：シアトルジェネティクス社のADC技術を使用してロシュ社が開発した、ヒト化抗CD79bモノクローナル抗体とチューブリン重合阻害剤をリンカーで結合させた、ファーストインクラスの抗CD79b抗体薬物複合体（ADC： antibody-drug conjugate）です。CD79bタンパクは、多くのB細胞で特異的に発現しており、新たな治療法を開発する上で有望なターゲットになり得ます。ポラツズマブ ベドチンは正常細胞への影響を抑えつつCD79bに結合し、送達された化学療法剤によりB細胞を破壊すると考えられます。

(注7) 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。

[抗がん剤 SyB L-1101 (注射剤) / SyB C-1101 (経口剤) (一般名: 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、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ヶ国以上が参加している国際共同第Ⅲ相臨床試験 (INSPIRE試験) を実施しておりますが、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ました。当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てまいります。

リゴセルチブ経口剤については、オンコノバ社が米国にて実施の、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(注8)併用) において、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、単剤により高用量の安全性及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ております。

トレアキシシン及びリゴセルチブに関して、東京大学医科学研究所との共同研究等を通じて、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い、事業価値の最大化に努めます。

(注8) 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に対する第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。

[抗ウイルス薬 SyB V-1901 (一般名: Brincidofovir)]

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薬プリン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9) に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結し、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ております。

当社は、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ております。そして、当該試験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 (注10) 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し、更には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してまいります。来期に開始予定しているBCV液剤の小児のアデノウイルス感染症を対象とした試験開始に向けて、鋭意準備を進めております。

本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、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及び治療に対する有効性と安全性が期待されます。

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BCVの新薬申請（NDA）の提出を受理したことを発表しました。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日に設定しました。

（注9）布林シドフォビル（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10）dsDNAウイルス：CMV、AdV、HHV-6、BKウイルス、HSV1/2、VZV、HPV、JCV、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、ポリオーマウイルス科、パピローマウイルス科、ポックスウイルス科を含む。

〔自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501〕

当社が2015年10月にザ・メディシンズ・カンパニー社（本社：米国ニュージャージー州、以下「MDCO」という）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11日に、MDCOが本製品に関する事業を欧米市場から撤退することを決定したこと及びライセンス契約に基づくMDCOの履行について十分な保証を提供しなかったことに起因する82百万米ドルの損害賠償を求めて当社は国際商業会議所（以下「ICC」という）の規則に基づく仲裁を申し立てておりました。当社は2020年9月1日に、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当社の主張を認めず、当社の損害賠償請求を否定した一方で、当社が仲裁で回収しようとした弁護士費用及び諸費用の50%に相当する495万米ドルをMDCOが当社に支払うよう、判断した旨の最終結果が確定したことを公表しました。

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通りに推移しました。

③ 新規開発候補品の導入

当社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬布林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、従来からの取り組みである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の継続的な実施を通じて、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、トレアキシン®の製品販売等により、2,987,051千円となり、売上高全体で前年同期比5.3%増加となりました。

一方、販売費及び一般管理費は、トレアキシン®の注射剤及びリゴセルチブの注射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2,266,556千円（前年同期比7.2%

減)を、自社販売体制の構築のための事前投資を含め、その他の販売費及び一般管理費として3,106,517千円(前年同期比14.0%増)を計上したことから、合計で5,373,073千円(前年同期比4.0%増)となりました。

これらの結果、当事業年度の営業損失は4,506,220千円(前年同期は営業損失4,301,615千円)となりました。また、保険配当金2,324千円を主とする営業外収益2,585千円を計上した一方、支払手数料43,958千円、為替差損41,287千円、株式交付費27,021千円を主とする営業外費用112,268千円を計上したこと等により、経常損失は4,615,903千円(前年同期は経常損失4,376,655千円)となり、受取和解金525,145千円を計上したものの当期純損失は4,090,216千円(前年同期は当期純損失4,376,258千円)となりました。

なお、当社の事業は医薬品等の研究開発及び製造販売並びにこれらの付随業務の単一セグメントであるため、セグメント別の記載を省略しています。

(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（2021年12月期～2023年12月期）につきましては、2021年度には、年初より本格稼働する自社販売体制の下で、トレアキシン®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、トレアキシン®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年度以降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、2020年12月のエーザイとの事業提携契約の満了後、自社販売体制を本格始動する。
 - 自社販売体制における全国営業組織の構築は2020年度中に完了、エーザイからの引継ぎを終えて2021年初年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は2020年度中に完了、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。
- ▶ トレアキシン®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し、2021年度は薬価ベース113億円の売上高を目標とする。
 - 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における基盤を維持し、薬価ベース41億円の売上を目標とする。
 - 適応症の拡大：2020年5月に承認申請した再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を適応症として、2021年第2四半期に販売を開始、薬価ベース26億円の売上高を目標とする。
 - その他の適応症の売上合計の目標を46億円とする。
 - 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、現行の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

上半期に販売を開始し、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薬ブリンシドフォビルにおいて、「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年上期にBCV液剤の小児のアデノウイルス感染症を対象とした試験を開始すべく、鋭意準備を進めている。更には、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検討を進め、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。
- ▶ オンコノバ社が国際共同第Ⅲ相臨床試験（INSPIRE試験）を実施しているリゴセルチブにおいて、当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。
- ▶ 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

- ▶ 当社は、販売委託先である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月よりトレアキシシ®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。本中期経営計画においては、2021年度以降の収益化と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年よりトレアキシシ®を自社販売しています。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、トレアキシシ®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、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：トレアキシシ®）

- ▶ トレアキシシ®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レアキシシ®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記載され、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基に、2020年5月に製造販売承認事項一部変更承認申請を行っており、2021年第2四半期に発売することを想定しております。また、全生存期間(OS)に関する追跡調査を実施中で、結果が判明次第、学会にて発表予定です。

- ▶ トレアキシシ[®]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1月に発売し、現行の凍結乾燥品から液剤への切り替えを2021年末には91%まで進め、2022年末には95%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ました。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)の適応追加とトレアキシシ[®]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、トレアキシシ[®]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、オンコノバ社との協働の下再発・難治性の高リスク骨髄異形成症候群(MDS)を適応症とした国際共同第Ⅲ相臨床試験(INSPIRE試験)を進めてまいりましたが、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ました。当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てまいります。

○ 抗ウイルス薬 SyB V-1901 (一般名: Brincidofovir<ブリンシドフォビル>)

- ▶ 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ました。2021年上期にBCV液剤の小児のアデノウイルス感染症を対象とした試験を開始すべく、鋭意準備を進めております。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、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。

○ 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まいります。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。

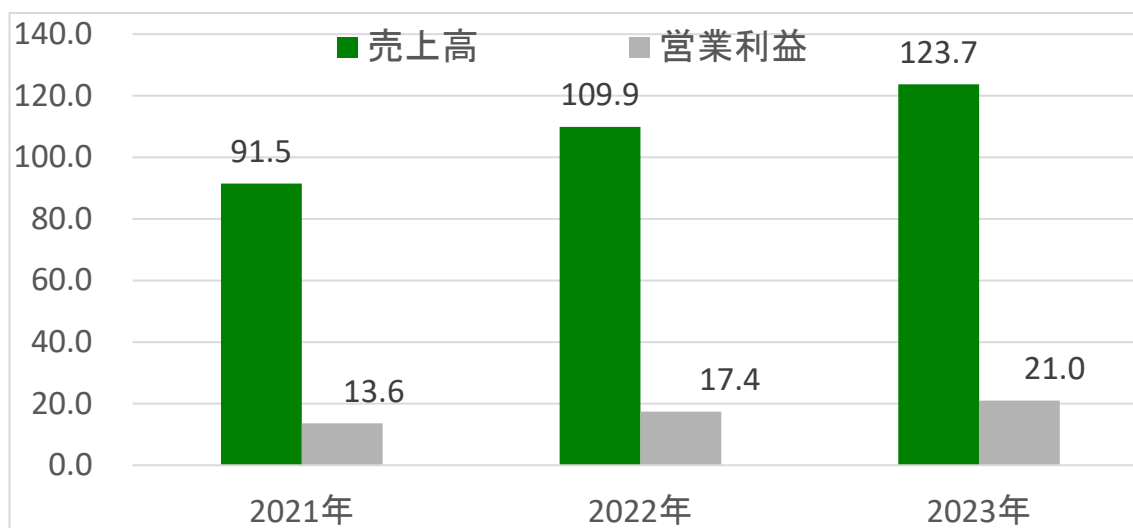
2. 今期の業績予想及び今後の業績目標

(単位：百万円)

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

【売上高、営業利益の推移】

(単位：億)



【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 → 2019年5月 承認申請 生存追跡調査試験				
トレアキシシ®液剤 RTD	全適応症	2020年9月 承認済				
トレアキシシ®液剤 RI	全適応症	全被験者の観察期間が完了 (LPLV)				
プリンシドフォビル 注射剤	造血幹細胞移植後の アデノウイルス感染症 (Global)	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 (Global)	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）

リゴセルチブ注射剤の国際共同第III相試験は、医師選択療法との比較において主要評価項目未達成、INSPIRE 試験の追加解析及び東京大学医科学研究所との共同研究等で新規適応症の探索

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 追加解析実施中				
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	国際共同第 I / II 相試験 完了				

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、トレアキシシ[®]の製品売上約 91 億円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。
- 2020 年まで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をベースとして計上していましたが、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をベースとした金額を計上しております。
- 2021 年以降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シ[®]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。
- ▶ 研究開発費約 20 億円については、トレアキシシ[®]及びリゴセルチブ、そして抗ウイルス薬布林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、抗ウイルス薬布林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ております。2021 年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、2020 年 2 月 6 日発表の中期経営計画において、2021 年度以降の収益化を見越して繰越欠損金等の解消が進むことの影響額を 2021 年度と 2022 年度の法人税等調整額に反映しておりましたが、2020 年度決算における会計監査人の見解も踏まえ、当社としては、今次中期経営計画において 2021 年度以降の法人税等調整額の要素を除外して計画を策定しました。
- 人員計画につきましては、2020 年に 62 名から成る全国営業組織の構築を完了しました。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。また、抗ウイルス薬布林シドフォビルのグローバル展開に伴う増員を計画し、人件費には反映しております。
- 資金計画につきましては、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、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。