

シンバイオ製薬株式会社

事業計画及び 成長可能性に関する事項

2022年3月31日

目次

第1部：ビジネスモデル		4
第2部：市場環境等		11
第3部：競争力の源泉		19
第4部：事業計画		26
第5部：リスク情報		41

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境等

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

会社概要



名称	シンバイオ製薬株式会社		
英文名称	SymBio Pharmaceuticals Limited		
所在地	〒105-0001 東京都港区虎ノ門3-2-2 虎ノ門30森ビル		
設立	2005年3月25日		
資本金	17,157,628,146円（2021年12月末現在）		
取締役	吉田 文紀 伊藤 浩孝 松本 茂外志	代表取締役 取締役 取締役（社外）	ブルース・デビッド・チェソン 海老沼 英次 取締役（社外） 取締役（社外）
監査等委員である 取締役	渡部 潔 遠藤 今朝夫	常勤監査等委員（社外） 監査等委員（社外）	賜 保宏 監査等委員（社外）
執行役員	吉田 文紀 伊藤 浩孝 福島 隆章	社長執行役員兼CEO 副社長執行役員兼COO 執行役員兼CFO	福島 耕治 吉田 耕造 鳥飼 芳春 執行役員兼CMO 執行役員 執行役員
子会社	SymBio Pharma USA, Inc. （シンバイオ ファーマ ユーエスエー インク） 米国ノースカロライナ州 ダーハム		

沿革 ①



2005年3月	シンバイオ製薬株式会社を東京都港区西新橋に設立
2005年 7月	本社を東京都港区新橋へ移転
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 ドイツラント社（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10月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の国内製造販売承認取得 ～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
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	大阪証券取引所JASDAQ市場グロースに上場
2014年 11月	本社を東京都港区虎ノ門へ移転
2016年 5月	SymBio Pharma USA, Inc.（シンバイオ ファーマ ユーエスエー インク）を米国カリフォルニア州メンローパークに設立

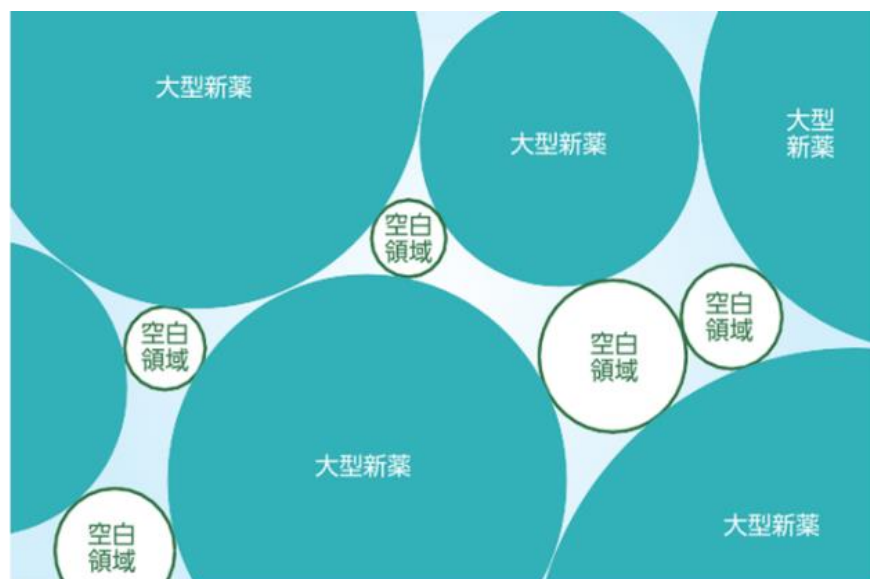
沿革 ②



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の国内製造販売承認を取得
2016年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の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国内製造販売承認を取得
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投与）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
2018年7月	造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版に抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」が標準的治療の選択肢として新たに収載
2019年9月	Chimerix社（米国）と抗ウイルス薬「brincidofovir」（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9月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の液剤「RTD製剤」の製造販売に係わる承認を取得
2020年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」について自社による国内販売を開始
2021年 1月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の液剤「RTD製剤」発売
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に関する承認取得、並びにトレアキシン®、リツキシマブとポラツズマブベドチンとの併用療法に関する承認取得
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に関する承認取得、並びにトレアキシン®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
2021年8月	抗ウイルス薬「brincidofovir」（プリンシドフォビル）注射剤第Ⅱ相臨床試験における1例目(FPI)の投与を開始
2022年2月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の液剤「RI投与」の製造販売に係る一部変更承認を取得

事業ドメイン

シンバイオ製薬は、医療ニーズは極めて高いにもかかわらず患者数が少ないために開発が見送られている「空白の治療領域」を埋める新薬の開発・提供を行う独自のポジションで、医療への高い貢献、そして医薬品業界の健全な発展に寄与します。



「空白の治療領域」に挑む

シンバイオ製薬は、患者数が少なく治療が難しいために開発が見送られている「空白の治療領域」を見据え、これを埋めるための新薬開発を推進しています。この独自のポジションから、医療への貢献を図っていきます。

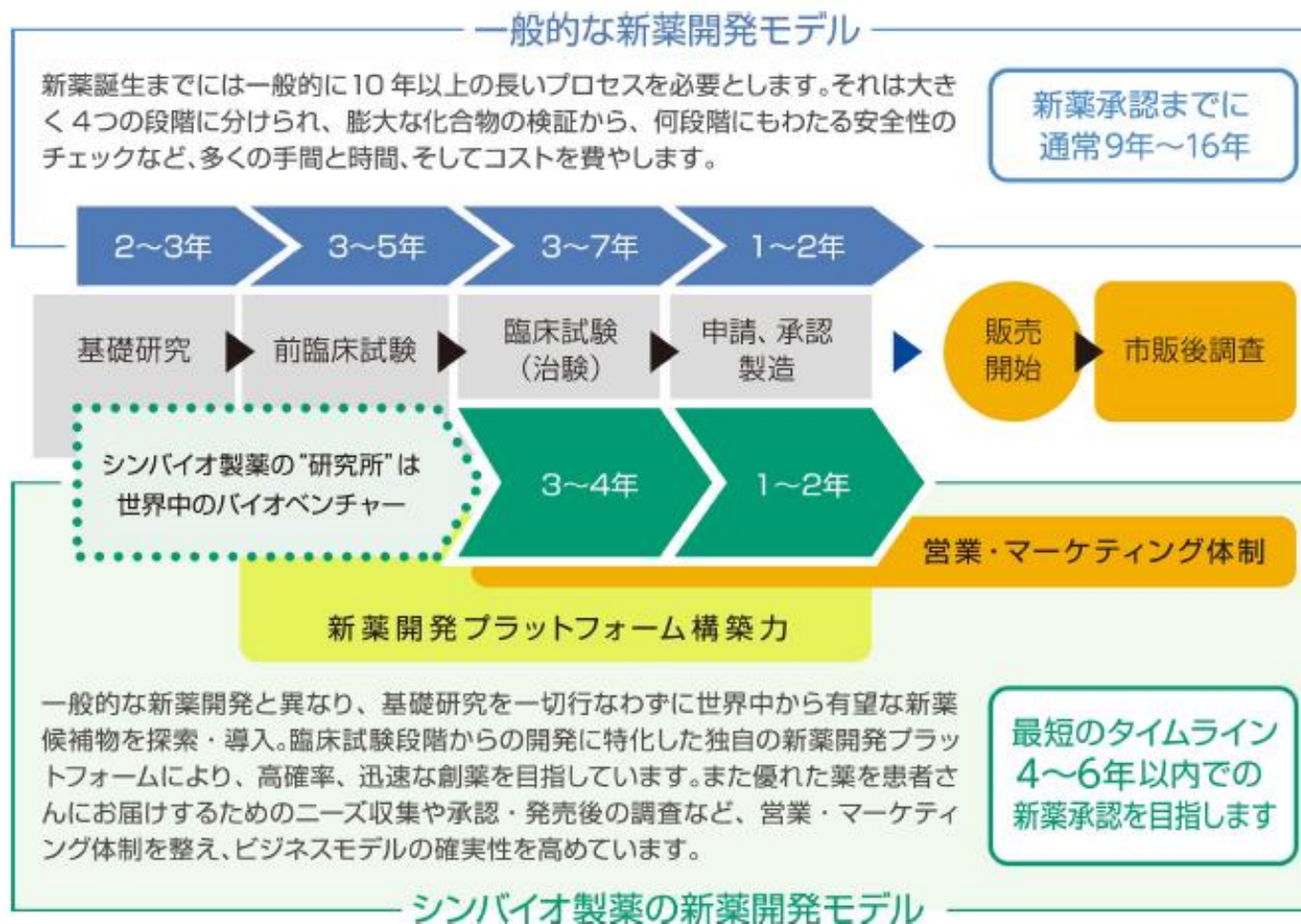


医療ニーズから出発する新薬開発

大手医薬品メーカーが採算面で手を出しにくい、未だ医療ニーズが満たされていない「ニッチな市場」。そのなかでも、特に難度の高い「がん、血液を中心とする希少疾病」の領域を中心に取り組んでいます。

ビジネスモデル

シンバイオ製薬では、医療価値の高い新薬を1日も早く開発し、提供していくために、他の医薬品メーカーとは異なる独自のビジネスモデルを構築しています。



製品パイプライン



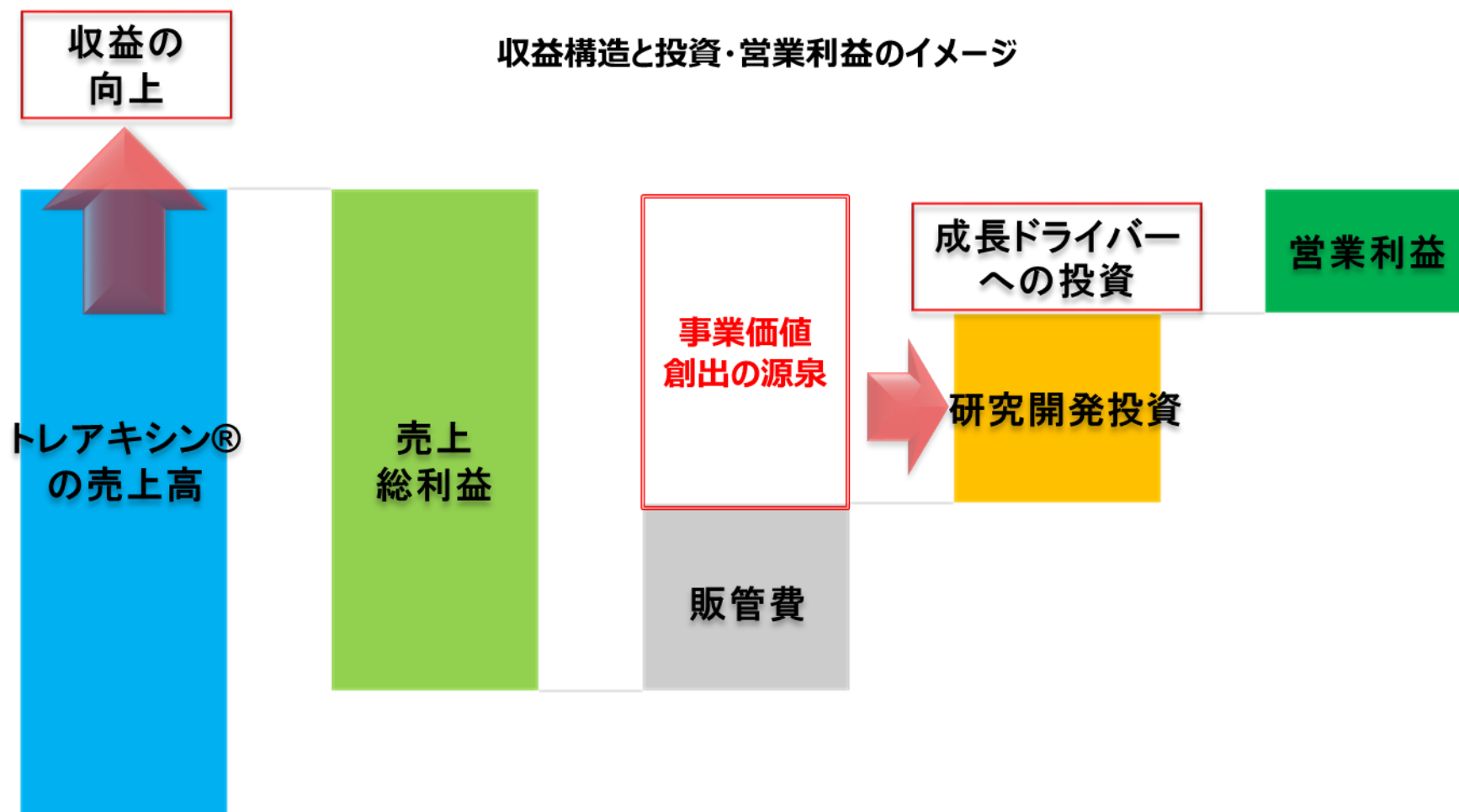
当社は、高い専門性が求められ難度が高いために参入障壁の高いがん及び血液領域を中心としたスペシャリティ・ファーマとして、以下のパイプラインを保有しております。

トレアキシン®「RI投与」の製造販売に係る一部変更承認を2022年2月取得。

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
SyB L-0501 トレアキシン® 「FD製剤」	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DLBCL	2021年3月 承認済				
SyB L-1701 トレアキシン® 「RTD製剤」	全適応症(再発・難治性DLBCL除く)	2020年9月 承認済				
	再発・難治性DLBCL	2021年4月 承認済				
SyB L-1702 トレアキシン® 「RI投与」	全適応症	2022年2月 承認済				
SyB V-1901 プリンシドフォビル 注射剤	造血幹細胞移植後を含む免疫不全患者の アデノウイルス感染症(小児・成人) (Global)	国際共同第2相臨床試験実施中				
	腎移植後BKウイルス感染症 (Global)					
	CMV感染GBM (Global)	(前臨床試験 進行中)				
SyB L-1101 リゴセルチブ 注射剤	再発・難治性 高リスクMDS	国際同第Ⅲ相試験 追加解析実施中				
SyB C-1101 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				

事業の収益構造

当社は、2020年12月の自社販売体制移行等に伴い、トレアキシ[®]の持つ極めて高い収益力＝売上総利益が、営業・管理費用の支出後、更なる事業価値創出に向けたパイプラインの研究開発投資を支えています。



第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境等

第3部：競争力の源泉

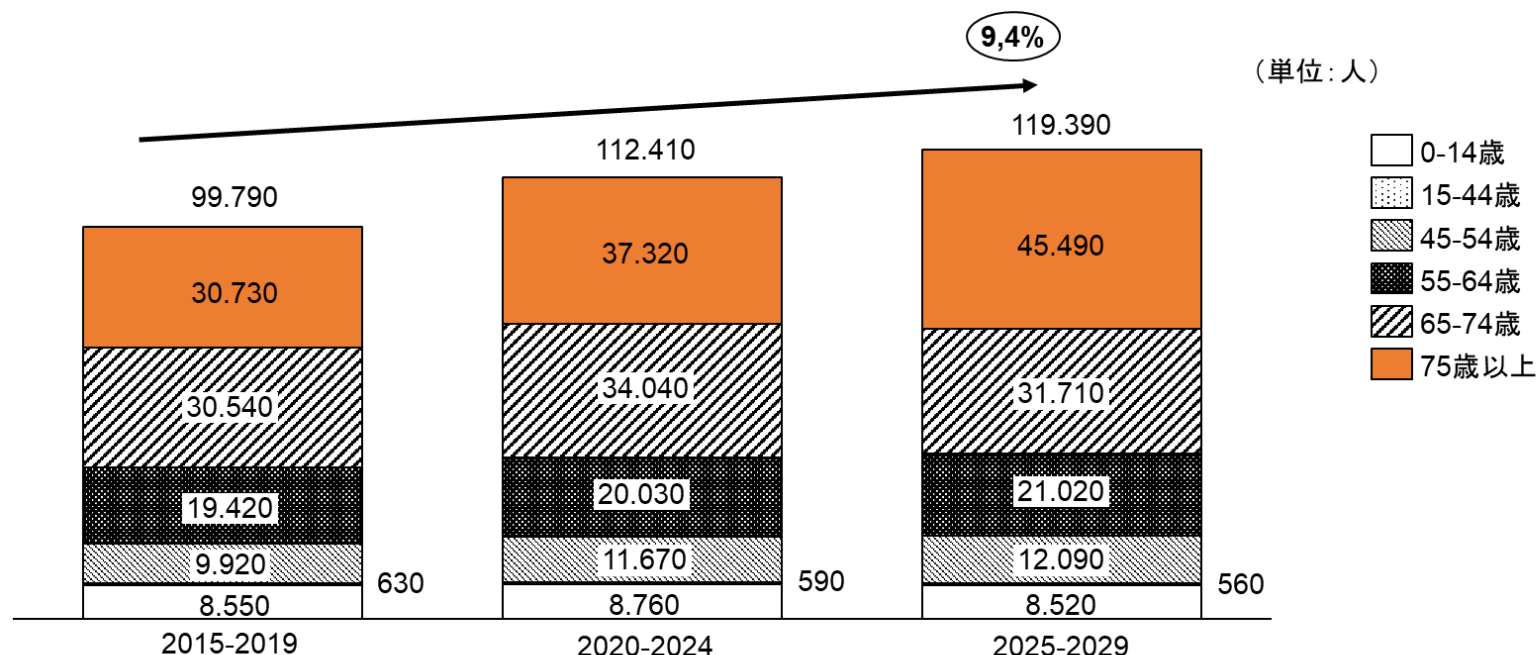
第4部：事業計画

第5部：リスク情報

市場環境等：トリアキシン®①

「トリアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、ベンダムスチン塩酸塩水和物）

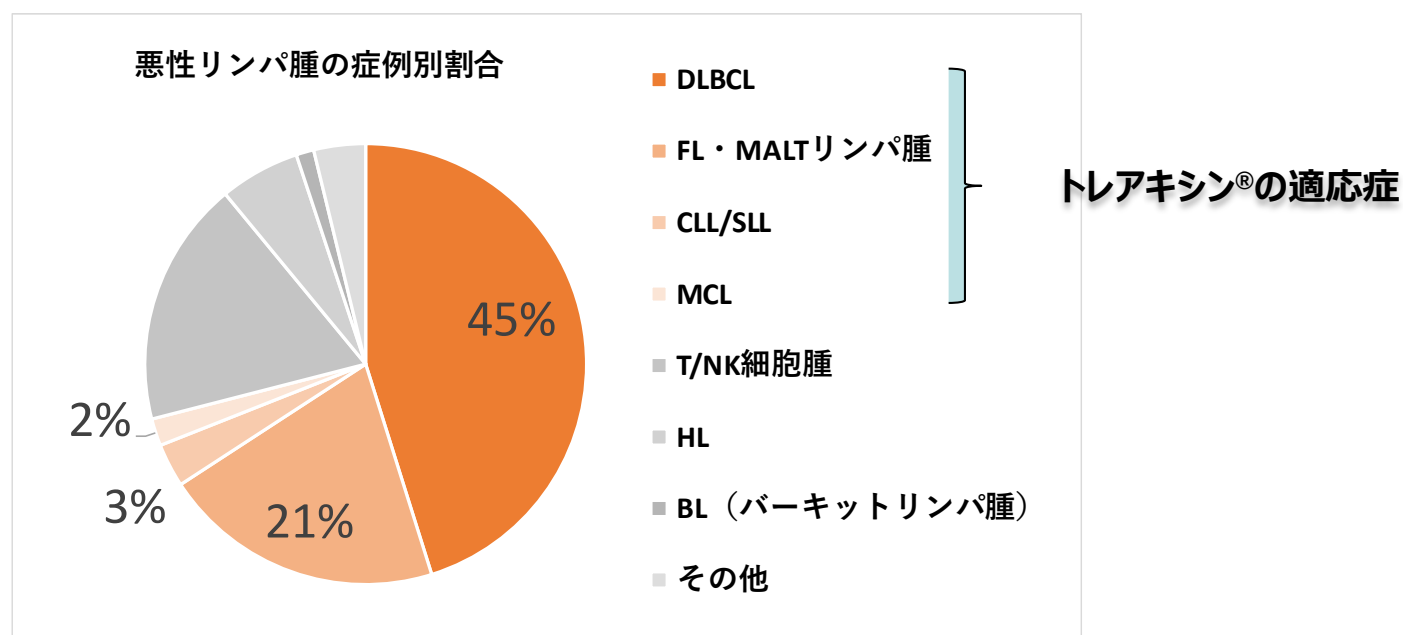
- 悪性リンパ腫は、高齢化社会を反映し、その罹患数は年々増加し、日常臨床で遭遇する一般的な疾患となりつつあります。
- 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」は悪性リンパ腫において、複数の適応を有しています。
- 悪性リンパ腫とは、白血球の一種であるリンパ球ががん化（腫瘍化）し、リンパ節や臓器に塊（腫瘤）ができる病気で、全身に分布するリンパ節やリンパ以外の臓器（胃、腸、甲状腺、脊髄、肺、肝臓、皮膚、眼など）からも発生します。悪性リンパ腫は主にホジキンリンパ腫（HL）と非ホジキンリンパ腫（NHL）に分かれており、日本では約90%がNHLで占められます。また、症状の進行速度によって、低悪性度、中悪性度、高悪性度に分類されます。



市場環境等：トレアキシン®②

「トレアキシン®」は大きく4つの適応を取得しています。

- 再発又は難治性の低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマントル細胞リンパ腫（MCL）【2010年10月に製造販売承認を取得】
- 未治療（初回治療）の低悪性NHL及びMCL【2016年12月に効能追加の製造販売承認を取得】
- 慢性リンパ性白血病（CLL）【2016年8月に効能追加の製造販売承認取得】
- 再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）【2021年3月に効能追加の製造販売承認取得】



出所：Chihara D, et al. Br J Haematol 164:536-545, 2014を基に当社加工

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3907701/pdf/bjh0164-0536.pdf>

市場環境等：トレアキシン®③



- 低悪性度NHLにおいては「トレアキシン®」と抗CD20抗体の併用療法（BR療法およびBG療法）は、日本血液学会が発行する造血器腫瘍診療ガイドラインにて、標準的治療の選択肢として推奨されることになり、名実ともに標準治療として位置づけられています。競合は従来の化学療法となりますが投与の簡便性や患者さんの負担等から初発治療として高い支持をいただいています。再発又は難治性の低悪性度NHLにおいては、最近承認されたリツキシマブおよびレナリドミド併用療法との使い分けが進んでいます。しかしながら、個々の患者の状態と薬剤特性から治療が選択されることになり、BR療法が標準治療の一つであることは変わらないと見込んでいます。
- 再発または難治性のDLBCLにおいては、これまで長く従来の化学療法以外に新しい治療法は開発されてこなかったため、BR療法及び、ポラツズマブ ベドチン（遺伝子組換え）とトレアキシン®、抗CD20抗体リツキシマブの併用療法（PBR療法）に対する期待は高く、治療選択肢としての浸透は早いと見込んでいます。
- 現時点で、競合となる薬剤はCAR-T療法や新規作用機序の薬剤となりますが、CAR-Tにおいては、使用可能な施設が限定されている事、新規作用機序の薬剤においては、今後の成績を参考に検証する事になりますが、個々の患者の状態と薬剤特性から治療が選択されることになると推察しています。
- ジェネリックが2022年2月に承認されました。しかしながら現時点において薬価収載に関する情報、および適応取得に関する情報が不確定であり、現時点で当期業績の変更はしておりません。

BCV vs. 既存の抗ウイルス剤

シンバイオの “ブルーオーシャン戦略” の展開

◆ 治療薬を待ち望む “空白の治療領域” は多い

●承認済み
○開発対象

治療薬／適応	CMV	AdV	BKV	EBV
ブリンシドフォビル		○	○	○
マリバビル	●			
レテモビル	●			
フォスカーネット	●			
シドフォビル	●			
ガンシクロビル	●			



しかし・・・

**CMV-GBMは
「空白の治療領域」**

脳腫瘍(GBM: グリオブラストーマ)

GBM患者の約50%がCMV陽性

- 再活性化CMVがGBMの腫瘍形成を促進する可能性
- 抗ガン活性と抗ウイルス活性** を持ち合わせた治療薬はない

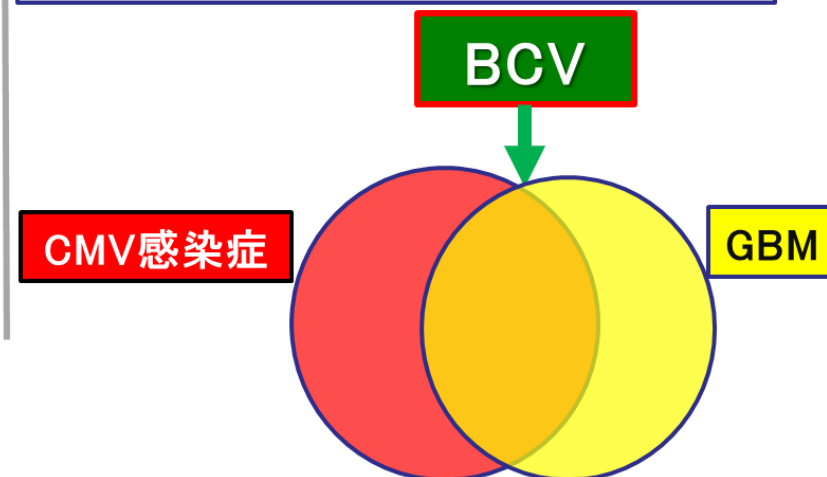
CMV感染と脳腫瘍

➤ CMV感染は細胞に炎症を起こし、がん幹細胞に影響し、低酸素状態を作り、新生血管形成に係る増殖因子VEGFを増加させるなどがん細胞の分化、増殖に影響

- 2002年、Dr. Charles Cobbsらがの論文を発表し、CMVのウイルスのゲノムと蛋白質が脳腫瘍の患者のサンプルに見つかったことを報告
- GBMの患者の多くは免疫不全状態であり、再活性化CMVが腫瘍形成を促進する可能性
- CMV感染はがん細胞のテロメラーゼを活性化し、細胞のアポトーシスを阻害することで腫瘍形成のプロセスを促進

アンメット・ニーズ

- 膠芽腫は、最も多い脳の悪性腫瘍、15～20カ月の生存期間しかなく、5年生存率は5%以下
- GBMの患者のうち、約50%がCMVに感染していることが判明
- 現在、開発中のGBM治療薬は多くあるが、CMVと脳腫瘍をターゲットにした治療薬はない



腎臓移植後のBKウイルス感染症

BKウイルス腎症は治療方法は確立されていない治療領域

腎臓・肝臓 移植件数

特徴とアンメット・ニーズ

臓器移植(SOT)の潜在市場

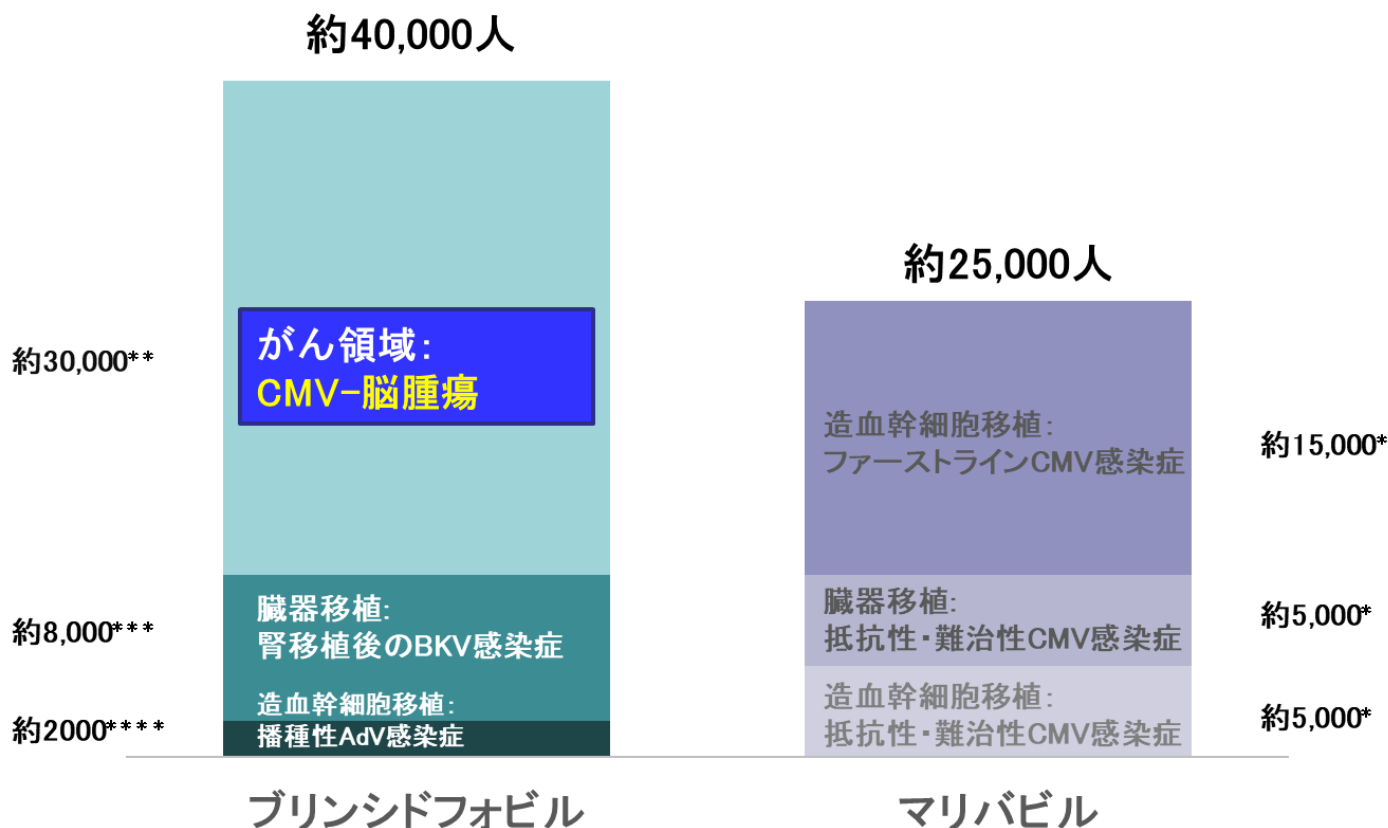
US>ROW>EU>Japan 地域特性を生かしたグローバル事業展開



- 腎移植は末期腎不全の唯一の根治療法
- 腎移植後感染のうち、～15%がBKV、～20%はCMV、～10%が水疱・带状疱疹ウイルスによる感染
- 腎移植後に、レシピエントの大切な移植腎を守るためにも感染症治療薬のニーズは極めて高い

市場環境等：布林シドフォビル④

BCVの強味は、二刀流
抗ウィルス活性 + 抗がん活性



* 武田薬品工業 2019年11月21日 R&D Day

** GlobalData: Forecast of incident cases of GEM in US, 5 EU, China and Japan (2027)より推定

*** International report on Organ Donation and transplantation Activities executive summary 2019, April 2021及びTransplantation 2012

**** Bone Marrow Transplantation 2016, Bone Marrow Transplantation 2019

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

競争力の源泉①

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

2) 既存パイプラインの価値最大化

3) 自社販売体制

4) シンバイオフーマUSAからグローバル展開へ

競争力の源泉②

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

当社の新薬サーチエンジンは、製薬企業及びバイオベンチャーとの多様なネットワークによって構築され、膨大な化合物から有望な新薬候補物が抽出されます。これらに対して第一線で研究に携わる経験豊かな**サイエンティフィック・アドバイザリー・ボード (SAB)** が的確な判断を下し、付加価値の高い新薬候補品を獲得、速やかな承認へ向けた臨床開発を推進します。



SABメンバー

	ジョージ・モー スティン (議長)	前アムジェン上級副社長グロ バルデベロップメント 兼 CMO		ロバート・ルイ ス	前アベンティス上級副社長 兼 ブリッジウオーター研究所最高 責任者
	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	京都大学名誉教授 京都大学iPS細胞研究所顧 問 京都大学iPS細胞研究所研 究員		須田 年生	国立大学法人熊本大学国 際先端医学研究機構 卓越 教授 シンガポール国立大学がん研 究所 教授
	竹内 勤	慶應義塾 常任理事 慶應義塾大学医学部リウマ チ・膠原病内科 教授		平家 俊男	兵庫県立尼崎総合医療セン ター・院長
	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		マティアス・J・ ルンメル (シニアアド バイザー)	Justus-Liebig-University (ユストゥス・リービヒ大学) 血液学および内科腫瘍学外 来医長

競争力の源泉④

2) 既存パイプラインの価値最大化

トレアキシ[®]は既承認の適応症に加え、再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）について、2021年3月に承認取得しました。また、イーグル社より導入したトレアキシ[®] RTD製剤は2021年1月より販売を開始、RI投与は2022年2月に承認取得しました。

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

売上の最大化

x

- 4. 自社販売体制の構築
- 5. 自社製造体制の構築

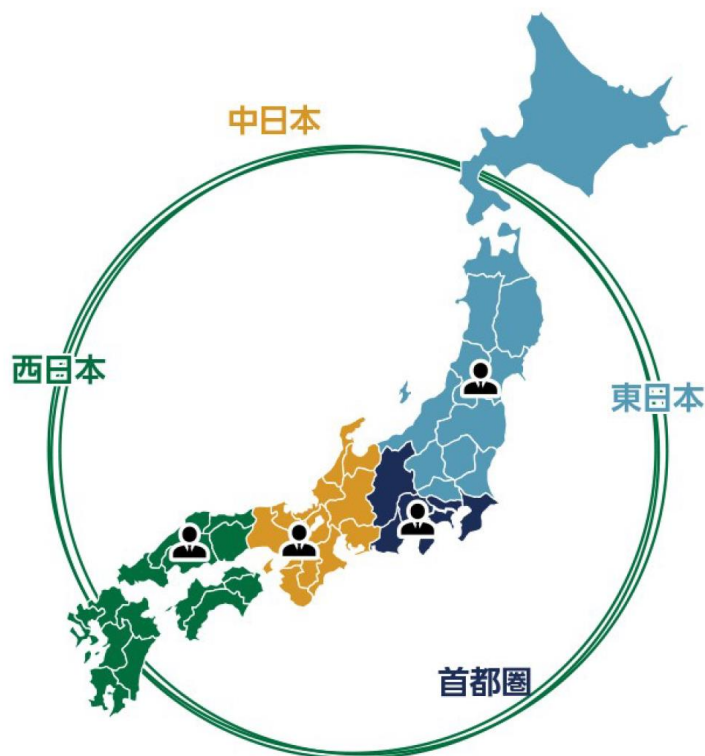
利益の最大化

競争力の源泉⑤

3) 自社販売体制

当社では、自社による販売体制を構築し、2020年12月にトリアキシン®の自社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。

- 地域密着型の営業体制を構築、全国4つの地域に分け展開
- 学術的支援のため血液領域専門エキスパート（HE）を各地域に配置



全国流通物流体制を完備

 SUZUKEN

+  東邦薬品株式会社

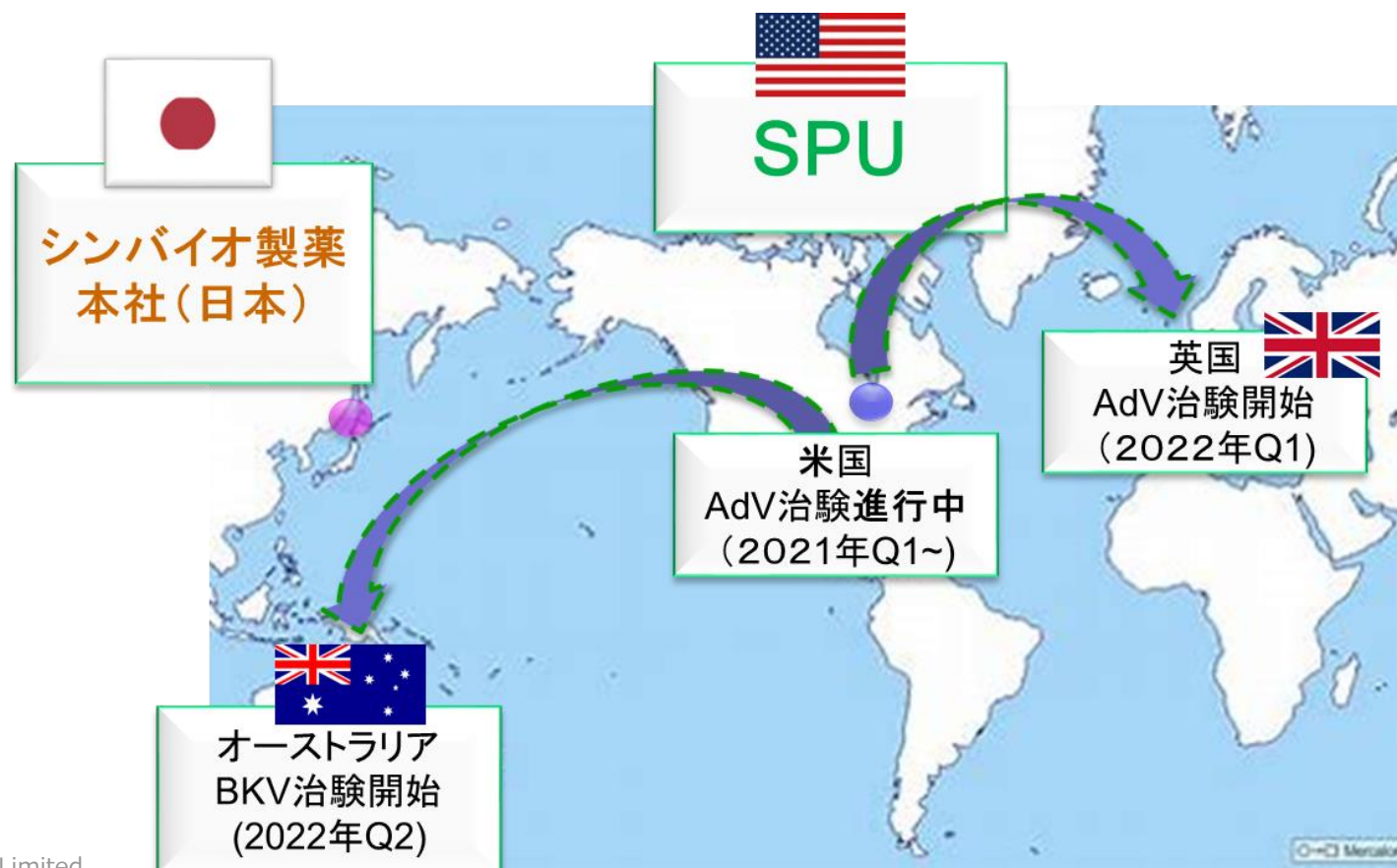
+ S.D.COLLABO

競争力の源泉⑥

4) シンバイオフーマUSAからグローバル展開へ

抗ウイルス薬プリンシドフォビルは、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感染症を最初の候補適応症として、日本／アメリカ／ヨーロッパを中心としたグローバル開発を行います。

2021年10月にシンバイオフーマUSAが本格稼働を開始し、プリンシドフォビルのグローバル開発と商業化を推進し、その事業価値の最大化を図ってまいります。



第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

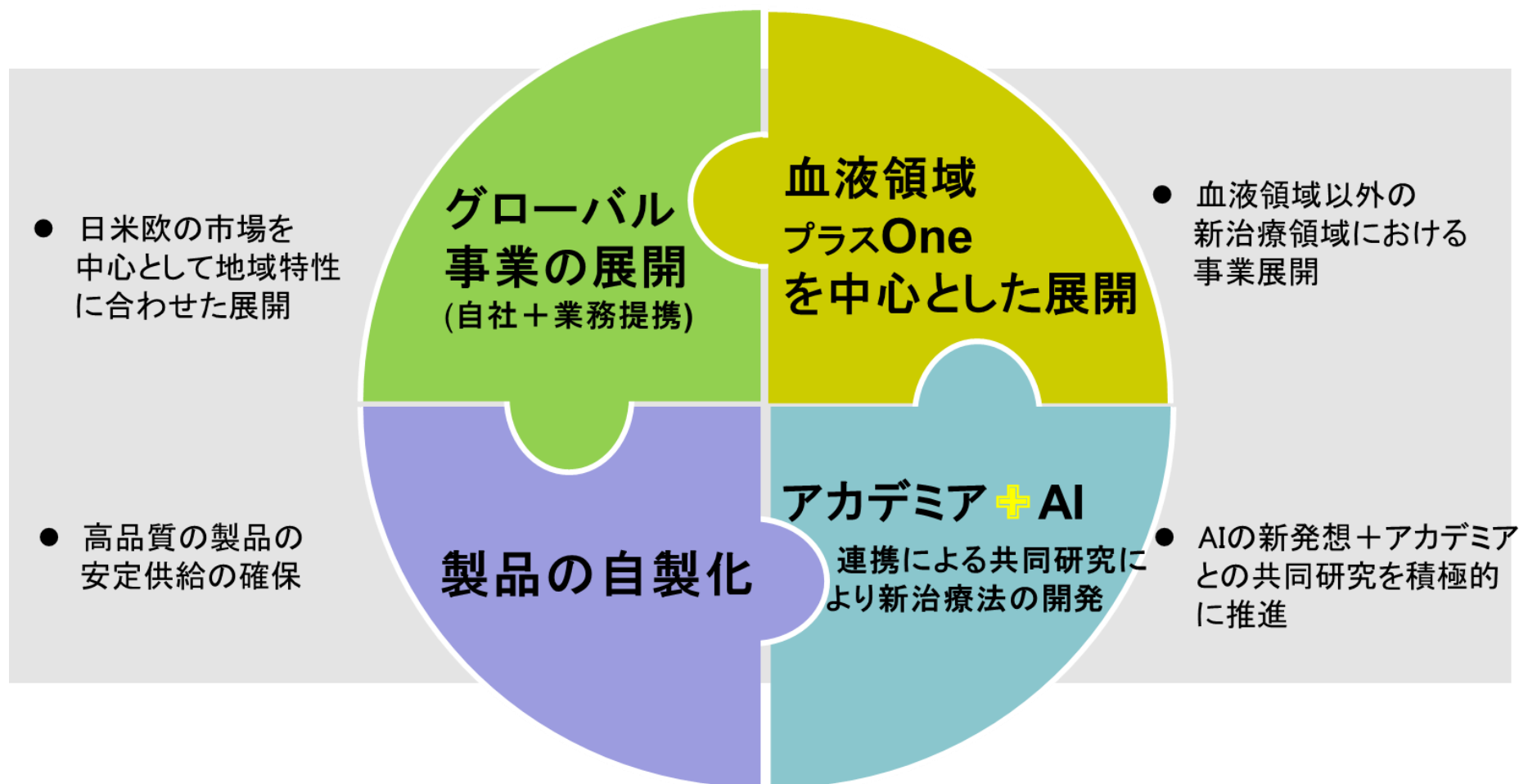
第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

第二の創業の経営目標

真のグローバル・スペシャリティファーマを目指す シンバイオ製薬の戦略



第二の創業の経営 持続的な事業価値創造の戦略 >>> “PER経営” “パイプラインの根源的価値の最大化”

2021~2025

既上市済製品及び近未来
パイプラインの価値最大化

トレアキシン®

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

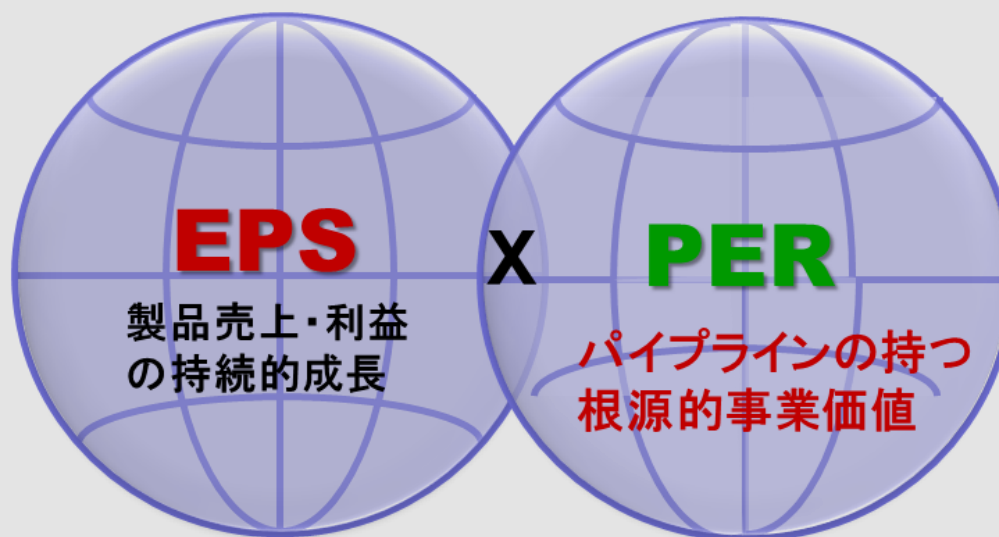
リゴセルチブ

- トレアキシン・他剤と併用
- 新規疾患ターゲット

BCV

- コア治療領域・地域以外での事業提携

事業価値の創造 = **EPS X パイプラインの事業価値**



2022~

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

製品が生み出す収益を循環し、更なる
事業価値最大化へ結びつける

経営目標と利益計画



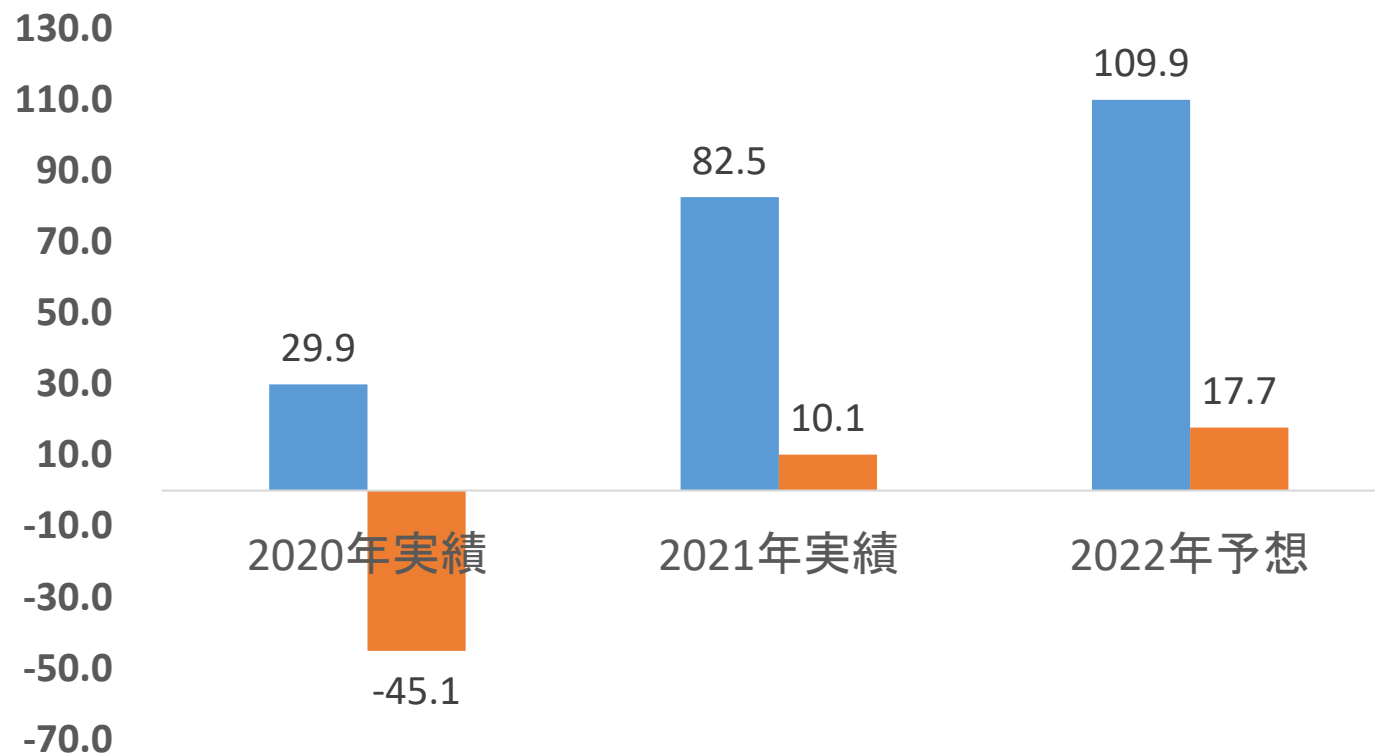
第二の創業の経営目標 “真のグローバル・スペシャリティファーマの実現”

- 2021年12月期 最重要課題であった黒字化を達成
- 2022年12月期 DLBCLの売上拡大と、BKV感染症の試験開始を見込む

(単位：億円)

■ 売上高(左軸)

■ 営業利益(左軸)



2023年12月期の計画については、プリンシドフォビルの適応拡大により新たな研究開発計画を策定中であり、2023年12月期の計画を開示しないことといたしました。

2021年度 損益計算書



2021年度 業績ハイライト

- 売上高は前年比2.8倍増、自社販売体制への移行とDLBCLの発売が寄与
- 売上総利益は前年比6.7倍増、FD剤からRTD切り替えによる利益率の大幅改善
- 販売費及び一般管理費は47.8億円、研究開発費は17.3億円（前年度は一時金支払5.2億円含む）
- 売上原価に、たな卸資産（FD製剤）評価損失等3.3億円を計上
- **営業利益10.1億円、当期純利益は20.3億円**（繰延税金資産計上・法人税等調整額(益)12.7億円）

（単位：百万円）	2021年度 実績	2020年度 実績	前年比増減	増減率 （％）
売上高	8,256	2,987	5,269	176.4%
製品売上	8,256	2,977	5,279	177.4%
その他売上	0	10	△ 10	-100.0%
売上原価	2,456	2,120	336	15.9%
売上総利益	5,800	866	4,933	569.1%
販売費及び一般管理費	4,784	5,373	△ 588	-11.0%
研究開発費	1,736	2,266	△ 530	-23.4%
営業利益	1,016	△ 4,506	5,522	-
当期純利益	2,032	△ 4,090	6,122	-

2021年度 貸借対照表

2021年度 業績ハイライト

- ・ 流動資産： 売上増に伴う売掛金17.4億円増加により、流動資産は67.4億円、前年比9.3億円増加
- ・ 固定資産： 繰延税金資産12.7億円計上により、前年比12.4億円増加
- ・ 資産合計： 84.5億円と前年比21.7億円増加
- ・ 純資産（株主資本等）は20.8億円の増加。 自己資本比率は前年比9.4%向上し、73.7%

（単位：百万円）	2021年12月末	2020年12月末	増減
流動資産	6,747	5,815	932
現金及び預金	3,860	3,848	11
固定資産	1,705	459	1,245
資産合計	8,452	6,274	2,178
流動負債	1,518	1,615	△ 97
固定負債	189	2	187
純資産（株主資本等）	6,745	4,657	2,088
負債純資産合計	8,452	6,274	2,178

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

（単位：百万円） 31

2021年度PL 実績 vs. 計画



計画比差異

- 売上高：①自社販売開始前に流通したエーザイ市中在庫の消化、②コロナ感染拡大による治療の見合わせ・遅延及び③医療機関による訪問抑制等の営業活動の制約
- 営業利益：FD製剤たな卸資産の評価損失等3.3億円を売上原価に計上
- 当期純利益：繰延税金資産及び法人税等調整額（益）12.7億円が増益要因

（単位：百万円）	2021年度 実績	2021年度 計画	計画比増減	増減率 （％）
売上高	8,256	9,151	△ 894	-9.8%
製品売上	8,256	9,151	△ 894	-9.8%
その他売上	0	0	0	-
売上原価	2,456	2,194	262	12.0%
売上総利益	5,800	6,957	△ 1,156	-16.6%
販売費及び一般管理費	4,784	5,596	△ 811	-14.5%
研究開発費	1,736	2,019	△ 282	-14.0%
営業利益	1,016	1,361	△ 344	-25.3%
当期純利益	2,032	1,149	883	76.9%

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

（単位：百万円） 32

2021年度の事業成果

- 1 自販により製薬企業としてのクリティカルマスを構築
- 2 SPUの稼働開始、グローバル事業展開の布石
- 3 アカデミアとの共同研究の推進
- 4 臨床試験用サンプルの製造・提供
- 5 '第二の創業'を実現する新経営体制の構築

2022年度 通期業績予想



2022年度 通期業績予想のハイライト

- 売上高は約33%増、主にDLBCLの売上拡大が寄与
- 売上総利益は約52%増、液剤（RTD/RI）への切替えによる利益率の改善が寄与
- 販管費は約47%増、2つ目の適応症BKV感染症の試験開始により、研究開発費は約76%増加
- 営業利益は約74%増の17.7億円、当期純利益は14.8億円（法人税等調整額の要素は除外）

（単位：百万円）	2022年度 業績見通し	2021年度 実績	前年比増減	増減率 （%）
売上高	10,992	8,256	2,735	33.1%
製品売上	10,992	8,256	2,735	33.1%
その他売上	0	0	0	-
売上原価	2,196	2,456	△ 260	-10.6%
売上総利益	8,796	5,800	2,995	51.7%
販売費及び一般管理費	7,026	4,784	2,241	46.9%
研究開発費	3,056	1,736	1,319	76.0%
（BCV）	1,269	408	861	211.0%
営業利益	1,770	1,016	753	74.2%
当期純利益	1,480	2,032	-	-

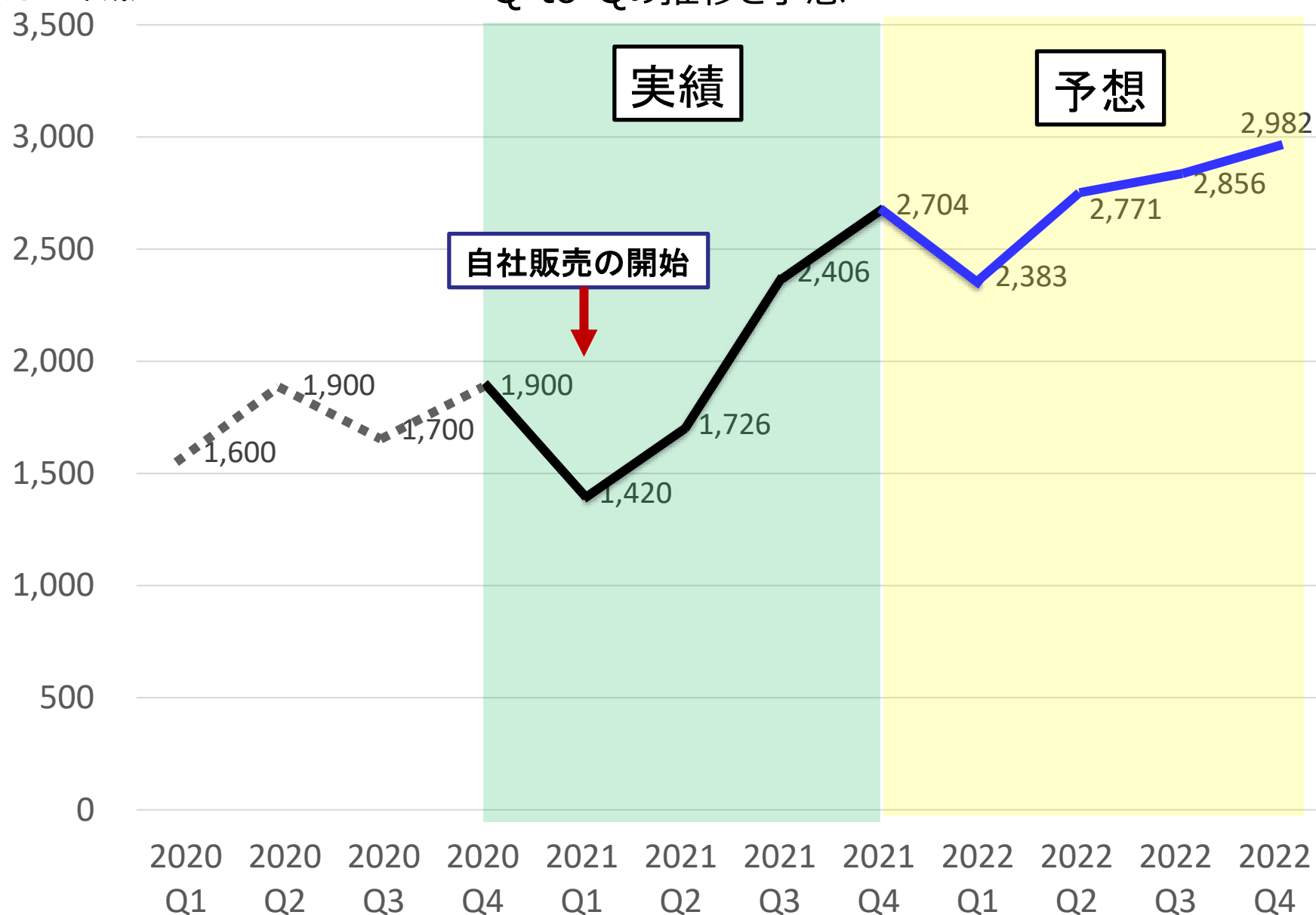
※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

（単位：百万円）

売上高推移 (2020年~2022年)

(百万円/四半期)

Q-to-Qの推移と予想



業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠



- 売上高は、2021年3月に承認となったBR療法及びP-BR療法のr/r DLBCLの適応追加、並びに2021年5月に中外製薬のポラツズマブベドチン（遺伝子組換え）が薬価収載されたことによるr/r DLBCLの売上の増加が通年寄与することに加え、r/r DLBCLで従来の多剤併用療法からの切り替えを鋭意進めること、及び低悪性度非ホジキンリンパ腫（iNHL）の未治療適応症の更なる浸透を図ることにより、前事業年度から33.1%増収の10,992百万円となる見込みです。
- 研究開発については、抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル開発を複数の適応症で加速させることに加えて、長期的な企業価値を高めるため、アカデミアとの共同研究による新規適応症の開発や、アライアンスも視野に入れた探索の強化により更なる新薬開発品候補の導入のための検討を進め、パイプライン全体の価値向上に取り組んでまいります。並行して、2021年度に達成した黒字化を安定させ、さらに収益の持続的拡大を図るとともに、グローバル事業展開についても鋭意進めてまいります。
- これらの結果、研究開発費は3,056百万円（当期実績1,736百万円）、研究開発費を含む販売費及び一般管理費の総額は7,026百万円（当期実績4,784百万円）を見込んでいます。

進捗状況① アカデミアとの協業 (i)

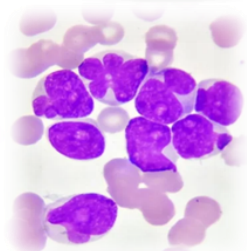
We're helping Science serve Mankind!

国内4件＋海外3件のアカデミアとの共同研究を推進

東京大学・薬学部2022年4月

東京大学・社会連携講座「分子腫瘍薬学」を開始

難治性・治療抵抗性
腫瘍



- 薬理的アプローチ
- 網羅的な遺伝子スクリーニング
- エピジェネティクス解析

- ◆ 空白の治療領域に対する新たな治療法の創出
- ◆ 治療最適化バイオマーカー、新たな治療薬標的の同定
- ◆ 既存薬の新たな有用性の発掘



北村俊雄教授(東大医科研)

✦ 榎本豊(東大医科研助教)

堀昌平教授(東大薬学部)



研究プラットフォームの融合(血液腫瘍研究＋腫瘍免疫研究)

エピジェネティクス異常による造血器腫瘍発症の分子機構解明やモデルを利用した新規治療法の開発



制御性T細胞の機能に関する分子機序の解明において卓越した研究業績と新たな研究パラダイムの開拓

進捗状況② アカデミアとの協業 (ii)

CMV感染の脳腫瘍 米国Brown大学との共同研究を開

“Our major goal is to provide the foundation to move new therapies forward from bench to bedside”...Dr. Sean Lawler

JCI The Journal of Clinical Investigation

Cytomegalovirus promotes murine glioblastoma growth via pericyte recruitment and angiogenesis

Harald Krenzelin, ... , E. Antonio Chiocca, Sean E. Lawler

J Clin Invest. 2019;129(4):1671-1683. <https://doi.org/10.1172/JCI123375>.



Cytomegalovirus (CMV) has been implicated in glioblastoma (GBM); however, a mechanistic connection in vivo has not been established. The purpose of this study is to characterize the effects of murine CMV (MCMV) on GBM growth in murine models. Syngeneic GBM models were established in mice perinatally infected with MCMV. We found that tumor growth was markedly enhanced in MCMV⁺ mice, with a significant reduction in overall survival compared with that of controls ($P < 0.001$). We observed increased angiogenesis and tumor blood flow in MCMV⁺ mice. MCMV reactivation was observed in intratumoral perivascular pericytes and tumor cells in mouse and human GBM specimens, and pericyte coverage of tumor vasculature was strikingly augmented in MCMV⁺ mice. We identified PDGF-D as a CMV-induced factor essential for pericyte recruitment, angiogenesis, and tumor growth. The antiviral drug cidofovir improved survival in MCMV⁺ mice, inhibiting MCMV reactivation, PDGF-D expression, pericyte recruitment, and tumor angiogenesis. These data show that MCMV potentiates GBM growth in vivo by increased pericyte recruitment and angiogenesis due to alterations in the secretome of CMV-infected cells. Our model provides evidence for a role of CMV in GBM growth and supports the application of antiviral approaches for GBM therapy.

Dr. Sean E. Lawler の研究

- CMV感染が神経膠芽腫（GBM）の増悪化に関与していることをマウスモデルで立証
- CMVに誘導されたNF- κ Bシグナル上昇を介して、c-METの発現上昇を招き、GBM細胞の成長を促進
- シドフォビル（CDV）がCMV感染マウスGBMモデルのCMVの再活性化を阻害し、生存率も改善

共同研究の目的

ブリンシドフォビル（BCV）のCMV感染-GBMに対する治療効果を検証する非臨床試験

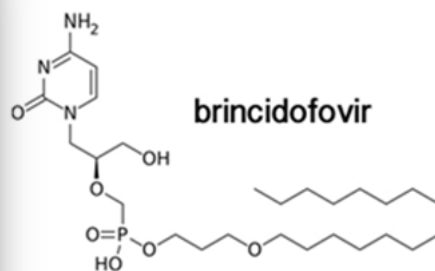
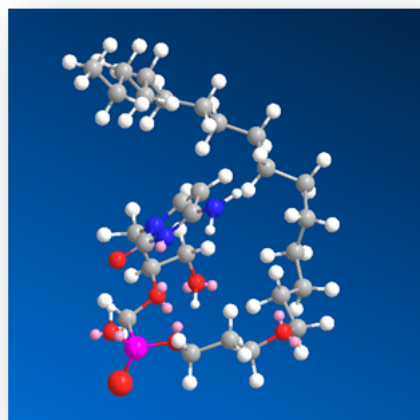
- CMV感染によるGBM増悪化モデルでの効果
- CMV陽性GBM細胞におけるBCVの作用機序

BCVのCMV陽性-脳腫瘍
の治療薬として検討

進捗状況③ ブリンシドフォビル（i）

グローバル事業展開のドライバー ブリンシドフォビル注射剤の事業戦略

抗ウイルス活性と抗ガン活性を併せ持つユニークな薬剤



brincidofovir

- 広域スペクトラム
- 高抗ウイルス活性
- 高抗ガン活性
- 血液脳関門の高透過性

移植領域

がん領域

脳神経領域

造血幹細胞移植

臓器移植（腎移植）

ウイルス感染の腫瘍

ウイルス感染脳神経疾患

進捗状況④ ブリンシドフォビル（ii）

現在、治療方法が無い適応症を対象にグローバル試験を推進

- ◆ 造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症：国際共同第Ⅱ相試験実施中
- ◆ 腎臓移植後のBKウイルス感染症：治験開始準備中
- ◆ CMV感染GBV：非臨床試験実施中（米大学2施設）

開発品目	適応症	開発・臨床試験地域	臨床試験			申請	承認
			第Ⅰ相試験	第Ⅱ相試験	第Ⅲ相試験		
ブリンシドフォビル注射剤	造血幹細胞移植後 免疫不全患者の アデノウイルス感染症 (Global)	 					
	腎移植後 BKウイルス感染症 (Global)	 					
	CMV感染GBM (Global)		(前臨床試験進行中)				

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

リスクの概要①



リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	発生可能性	発生時期	影響度	当社の対応策
研究開発および収益確保の不確実性について	新薬候補品の開発、規制当局からの承認、製造及び販売の各段階において成功を収め採算性を確保する必要があります。	開発が遅延し、または中止となる場合、当社の財政状態および経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	大	当社ではパイプラインを複数保有するとともに、絶えず新規の候補薬の探索に努めています。科学的専門家会議の検討を経て、POCが確認された開発候補品を優先して導入するとともに、開発リスクの軽減のため、既存パイプラインの薬剤につき、併用療法の可能性も追求しております。
特定の取引先に依存するリスク	取扱製品・開発中の薬剤は、それぞれ海外のライセンス先からライセンスを受けております。また製品製造はライセンス先に委託中です。	ライセンス元の企業に開発・販売等について依存するリスクがあります。	中	中長期	中	ライセンス元とは円滑な情報交換に努めおり、製品の調達にあたっては、必要量および品質の確保につき適切に対応しております。
特定の製品に依存するリスクについて	現在、製品化しているものは、トリアキシン®一種類しかありません。	トリアキシン®についての競合品等の出現によって市場での供給力が低下する可能性があります。	中	中長期	中	トリアキシン®の適応をDLBCLに拡大することによって市場は拡大し、また新剤形である液剤トリアキシン®の急速静注（RI投与）の承認により、更なる販売の増加を企図しております。なお、トリアキシン®RTD製剤及びRI投与については、EAGLE社の特許によって保護されています。
サプライチェーンにおけるリスク	販売中の製品の製造・輸入・日本における検査・出荷及び流通業者への委託販売のサプライチェーンにおいて問題が生じた際のバックアップ体制。	サプライチェーンに問題が生じた場合、製品供給が途絶える可能性があります。	中	中期	中	製品の製造においてバックアップを確保し、また、流通経路においても、相互代替可能になるように、卸業者を2社を活用し、製品倉庫を東西に設置しております。

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

リスクの概要②

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	発生可能性	発生時期	影響度	当社の対応策
海外治験の遂行について	抗ウイルス薬プリンシドフォビル（Brincidofovir：BCV）につきましては、米国および英国での治験に着手。治験の遅延等が生じた場合、経営への影響が大きい。	海外での治験は初の試みであり遅延等が生じるリスクがあります。	中	中長期	大	ライセンス元キメリクス社の支援もうけながら、米国の有力治験実施会社シネオス社を治験業務委託先として起用し、米国FDAに治験届を提出しFAST TRACKの指定を受けております。英国においても同社を起用し、治験届を提出しました。 また、2021年10月にシンバイオファーマUSAの本格稼働し、今後、海外治験の遂行を担っていきます。
後発医薬品の承認について	2022年2月にトレアキシン®の後発医薬品が承認され、薬価収載が認められた場合、今後の販売数量等に影響が出る可能性。	後発医薬品が発売された場合、当社の売上予測等に影響が出るリスクがあります。	中	中期	中	当社の独占的な特許使用権の侵害の可能性が生じたことにつき、ライセンス元であるEagle社と協議し、後発医薬品の製造販売承認を取得した4社に対して特許権の侵害の懸念について文書によって通告し、適切な対応を要求しております。
資金調達について	開発投資に必要な資金確保が行えなかった場合、開発中止など事業計画に与える影響が大きい。	必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に懸念が生じる可能性があります。	中	中期	中	体制整備は完了し、黒字確保によって、当面の資金調達はほぼ終えております。銀行融資枠の活用により、必要に応じて運転資金需要に対応できるように備えております。

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

本資料の取り扱いについて

当該資料は当社の事業内容を説明するために作成されたものであり、勧誘を目的に作成されたものではありません。

当該資料に記載された内容については合理的な注意を払うよう努めておりますが、当該資料の作成時において入手し得た情報に基づき、当社の判断において記載したものです。市場環境等当社外の事項に関する情報については、その正確性、完全性について保証するものではなく、また、業績の見通し等の将来に関する記述については、リスクや不確実な要素が含まれているため、実際の業績は大きく異なるものとなる可能性があり、これについて確約や保証を与えるものではありません。

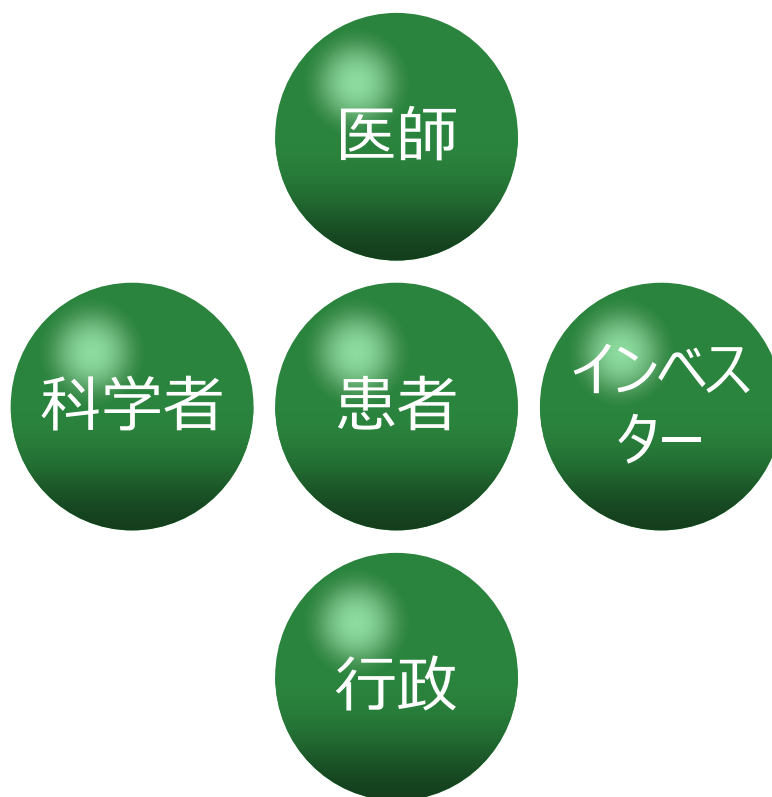
投資等を行われる際には、投資家ご自身の責任と判断で行っていただくことを前提に当該資料をご提示させていただきます。

なお当該資料に記載されている開発品の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではありません。

当資料は、本決算発表の時期（次回2023年2月）または株主総会の時期（次回2023年3月）を目途に更新し、開示する予定です。

また、事業進捗に関する内容に変更がある場合には、四半期決算短信等において当該変更事項を開示する予定です。

“共創・共生”の志



わかちあう、創薬の喜び