

事業計画及び成長可能性に関する事項

(4582) シンバイオ製薬株式会社

2024年3月29日

目次

第1部：ビジネスモデル	3
第2部：市場環境等	11
第3部：競争力の源泉	17
第4部：事業計画	24
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 東京都港区虎ノ門四丁目1番28号			
設立	2005年3月25日			
資本金	17,952,692千円 (2023年12月31日現在)			
取締役	吉田 文紀 松本 茂外志 海老沼 英次	代表取締役 取締役 (社外) 取締役 (社外)	ブルース・デビッド・チェソン ジョージ・モースティン 今別府 敏雄	取締役 (社外) 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	取締役 常勤監査等委員 (社外) 取締役 監査等委員 (社外)	賜 保宏	取締役 監査等委員 (社外)
執行役員	吉田 文紀 福島 隆章 佐々木 俊一	社長執行役員 兼 CEO 副社長執行役員 兼 CFO 常務執行役員	堀田 裕幸	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 ダーラム SymBio Pharma Ireland Limited (シンバイオ ファーマ アイルランド リミテッド) アイルランド ダブリン			

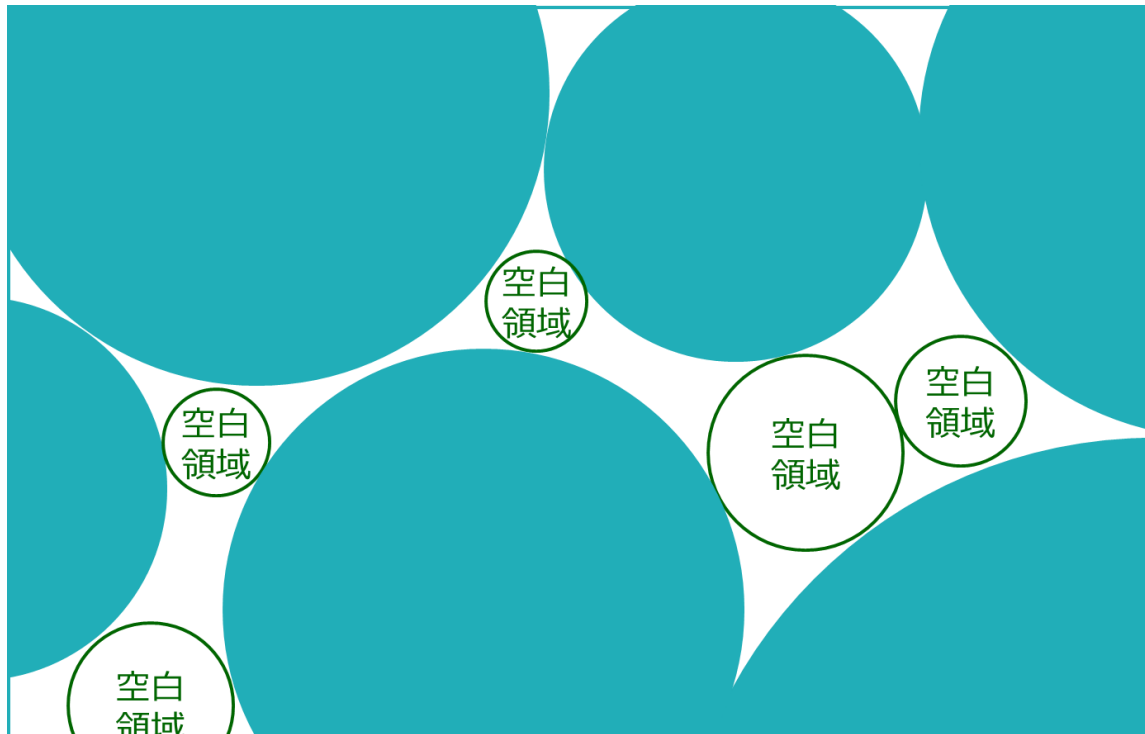
2024年3月29日現在

2005年3月	東京都港区において当社設立
2005年12月	アステラス・ファーマGmbH社(現 アステラス・ドイッチラントGmbH社)とSyB L-0501の日本における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受け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・ドイッチラントGmbH社より、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権および独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2008年 8月	イーザイ株式会社とSyB L-0501の日本における共同開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2009年 3月	セファロン社とSyB L-0501の中国における独占的開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2009年 5月	イーザイ株式会社とSyB L-0501の韓国及びシンガポールにおける独占的開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2010年10月	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、抗悪性腫瘍剤「トリアキシシン®(開発コード：SyB L-0501、一般名：ベンダムスチン塩酸塩)」の国内製造販売承認を取得
2010年12月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシシン®(開発コード：SyB L-0501、一般名：ベンダムスチン塩酸塩)」を、再発・難治性の低悪性度B細胞性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提携先のイーザイ株式会社を通じて国内販売を開始
2011年7月	オンコバ・セラピューティクス社とSyB L-1101(注射剤) / C-1101(経口剤)の日本及び韓国における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2011年10月	大阪証券取引所JASDAQ(グロース)(現東京証券取引所JASDAQ(グロース))に株式を上場
2014年 11月	本社を東京都港区虎ノ門へ移転
2016年 5月	米国カリフォルニア州メンローパークに子会社、シンバイオファーマUSA（非連結子会社）を設立
2016年8月	SyB L-0501の慢性リンパ性白血病に対する効能追加の承認を取得
2016年12月	SyB L-0501の未治療（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する効能追加の承認を取得

沿革②

2017年9月	イーグル・ファーマシューティカルズ社との間でトレアキシン® 液剤SyB L-1701(RTD 製剤) /L-1702(RI投与)の日本における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受ける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	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 (brincidofovir : BCV) SyB V-1901の世界全域における開発・販売・製造を含めた独占的権利の供与を受けるライセンス契約を締結
2020年9月	SyB L-1701 トレアキシン®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®」の液剤である「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®とリツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項一部変更承認を取得
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	SyB V-1901 第Ⅱ相臨床試験（アデノウイルス感染症）における1例目の投与を米国において開始
2022年2月	SyB L-1702 トレアキシン®液剤（RI投与）の製造販売承認事項一部変更承認を取得
2022年4月	東京証券取引所グロース市場へ移行
2022年9月	キメリックス社と締結した抗ウイルス薬プリンシドフォビルに関するライセンス契約のすべての権利・義務がエマージェント・バイオソリューションズ社に移転
2023年3月	米国国立衛生研究所（NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（NINDS）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
2023年4月	米国国立衛生研究所（NIH）に所属する国立アレルギー・感染症研究所（NIAID）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
2023年5月	造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症を対象とした第Ⅱ相臨床試験において、注射剤プリンシドフォビルがヒトPOCを確立
2023年12月	本社を港区虎ノ門内で移転

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

医療ニーズが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」を埋める新薬を開発・提供し、医療への高い貢献と医薬品業界の健全な発展に寄与します。



医療ニーズから出発する新薬開発

私たちが取り組むのは、大手製薬企業が採算面で参入しにくい、しかし医療ニーズが高くしかも治療が難しい「ニッチな市場」です。なかでも、特に難度の高い「がん、血液、ウイルス感染症を中心とする希少疾患」を核とした新薬開発を推進しています。

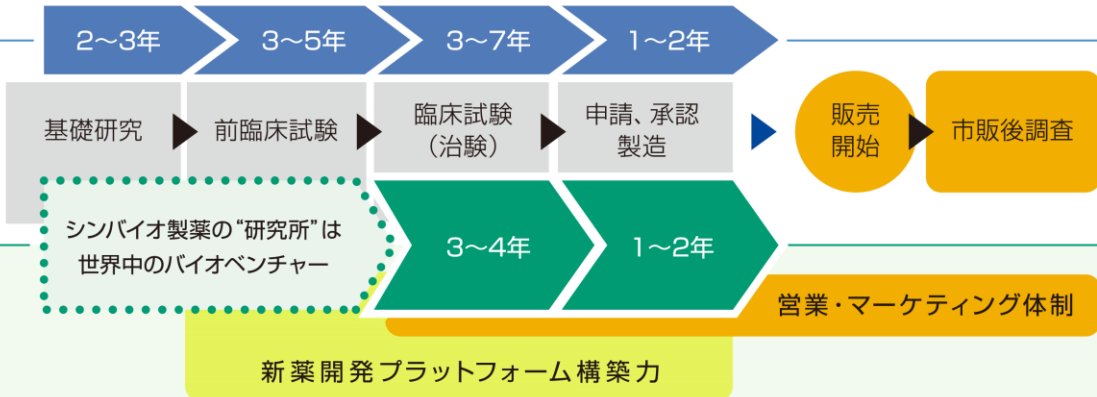
ビジネスモデル

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。

一般的な新薬開発モデル

新薬誕生までには一般的に10年以上の長いプロセスを必要とします。それは大きく4つの段階に分けられ、膨大な化合物の検証から、何段階にもわたる安全性のチェックなど、多くの手間と時間、そしてコストを費やします。

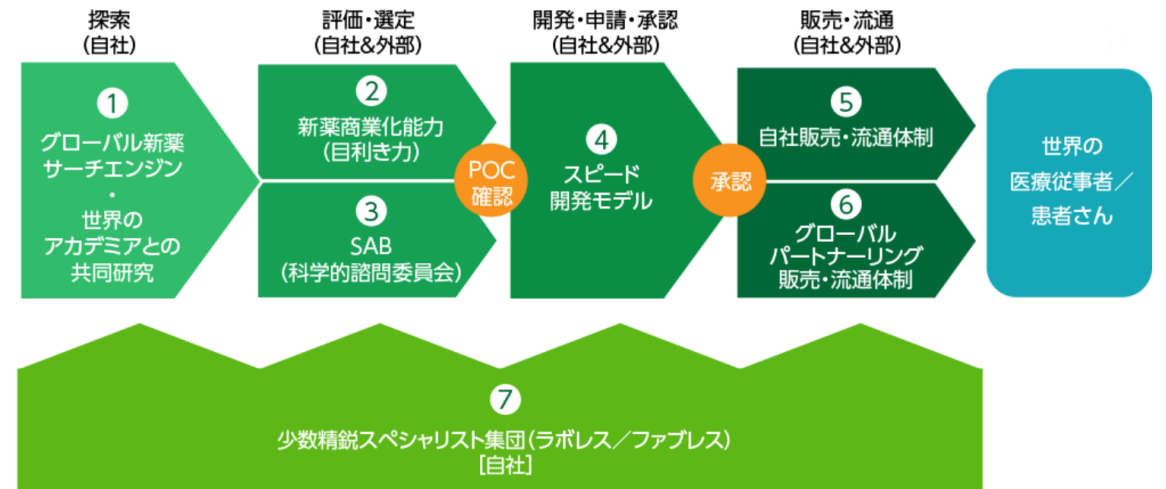
新薬承認までに
通常9年～16年



一般的な新薬開発と異なり、基礎研究を一切行わずに世界中から有望な新薬候補物を探索・導入。臨床試験段階からの開発に特化した独自の新薬開発プラットフォームにより、高確率、迅速な創薬を目指しています。また優れた薬を患者さんにお届けするためのニーズ収集や承認・発売後の調査など、営業・マーケティング体制を整え、ビジネスモデルの確実性を高めています。

最短のタイムライン
4～6年以内での
新薬承認を目指します

シンバイオ製薬の新薬開発モデル



→p.16「競争力の源泉」参照

開発品	適応症	臨床試験			申請	承認
		第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
SyB L-0501 FD 凍結乾燥剤	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 RTD液剤*	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 RI投与*	全適応症				2022年2月承認済	
開発品	適応症	臨床試験			申請	承認
SyB V-1901 注射剤 プリンシドフォビル	造血幹細胞移植後 アデノウイルス感染症			第Ⅱ相臨床試験実施中		
	腎移植後 BKウイルス感染症			第Ⅱ相臨床試験実施中		
	造血幹細胞移植後 サイトメガロウイルス感染症	(第Ⅱ相臨床試験準備中)				
	EBウイルス 多発性硬化症	(非臨床試験実施中)				
	単純ヘルペスウイルス1型 アルツハイマー型認知症	(非臨床試験実施中)				
	サイトメガロウイルス GBM	(非臨床試験実施中)				
	全適応症	(非臨床試験実施中)				
開発品	適応症	臨床試験			申請	承認
SyB L-1101 注射剤	再発・難治性 高リスクMDS (単剤)			国際共同第Ⅲ相試験完了		
SyB C-1101 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		

当社グループは現在開発中のパイプラインとして、

SyB L-0501、SyB L-1101、SyB C-1101、SyB L-1701及びSyB L-1702、SyB V-1901を有しています。

今後も開発候補品を継続的に導入することにより、パイプラインのより一層の拡充及びリスク・リターンバランスのとれたパイプライン・ポートフォリオを構築してまいります。

SyB V-1901 注射剤プリンシドフォビル

造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症

現在、第Ⅱ相臨床試験実施中です。

腎移植後BKウイルス感染症

第Ⅱ相臨床試験は2025年の終了を計画しておりましたが、計画に対して症例集積に遅れが生じたことから、再度研究者の方々とプロトコルの修正の検討を行います

造血幹細胞移植後サイトメガロウイルス感染症

第Ⅱ相臨床試験の実施準備中です（※前回開示では第Ⅰb相臨床試験の実施準備中と記載しておりました）

※2017年9月20日にEagle Pharmaceuticals, Inc.(米国ニュージャージー州)より、ベンダムスチン液剤(RTD製剤、RI投与)のライセンス権利を取得しています。2021年1月よりRTD製剤の販売を開始し、RI投与の市場投入を行いました。

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

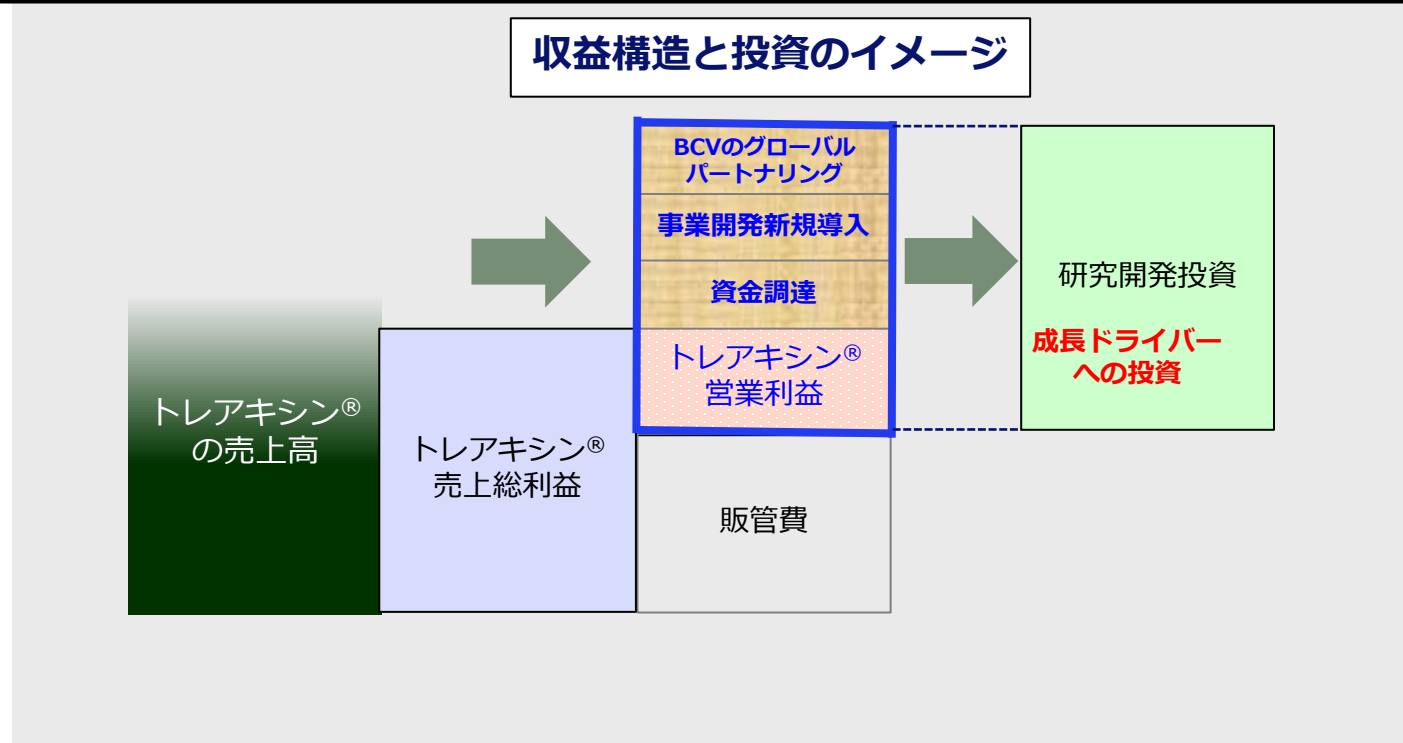
第4部：事業計画

第5部：リスク情報

事業の収益構造

事業収益としてトレアキシ[®]がありますが、後発品の浸透とコロナ禍の処方減に起因した販売減は今後も継続すると想定しています。これを補うため、新規開発候補品のライセンス取得に向けた探索評価の実施を通じての製品導入、グローバル製薬会社とのパートナーリング及びライセンス収入の獲得、並びに資金調達に注力します。

2019年に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビル（BCV）のグローバル開発を推進し、2030年までに2つの適応症で承認を得ることを最優先の目標としており、BCVの承認取得・上市及びパートナーリング収入の獲得による黒字化を実現し、成長性と収益性を兼ね備えたバイオ製薬企業として中長期的な事業価値の創造を目指してまいります。

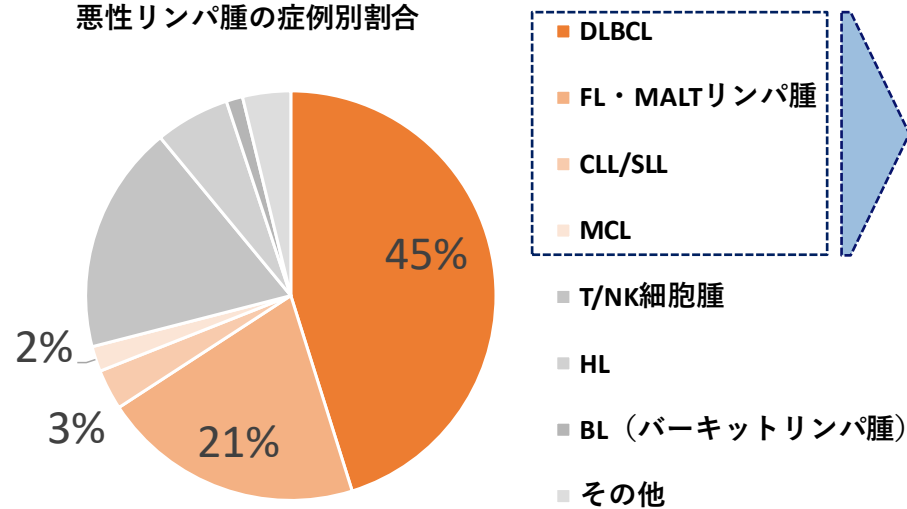


市場環境等：トレアキシ[®]①

「トレアキシ[®]」は4つの効能又は効果の製造販売承認を取得しています。

- 低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫
- 再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫
- 慢性リンパ性白血病
- 腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置

悪性リンパ腫の症例別割合



トレアキシ[®]の適応症に
関連する病型

トレアキシ[®]の主な適応症の製造販売承認年月

- 再発・難治性 低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫
2010年10月
- 慢性リンパ性白血病 (CLL)
2016年8月
- 未治療 低悪性度B細胞性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
- 再発又は難治性 びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (DLBCL)
2021年3月

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[®]②

- 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となりますが、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。
- トレアキシン[®]点滴静注液100mg/4mL [RTD (Ready-To-Dilute)製剤] の投与時間を10分間に短縮するRI（Rapid Infusion）投与について、2022年2月に一変承認を取得しました。
- 2023年12月末時点において90%を超す医療施設で患者さんにRI投与が行われております。

市場環境等：トレアキシン[®]③

2022年2月

- ・ 当社製品トレアキシンRTD製剤を先発医薬品とする後発医薬品の製造販売承認を4社が受け、内2社が後発医薬品の販売開始

2022年12月

- ・ 当該製品のライセンス元イーグル社と共同で、ファイザー株式会社及び東和薬品株式会社に対して、特許権侵害に基づく後発医薬品の製造販売の差止及び損害賠償請求の提訴

後発品の浸透とコロナ禍の処方減に起因した販売減は継続すると見えています。これを補うため、新規製品の導入・上市、グローバル製薬会社とのパートナーリング及びライセンス収入の獲得、その他資金調達に注力します。

トレアキシン市場と対応

【ベンダムスチン市場及びシェア】

標準療法でもあることから、FL NHL及びr/r DLBCL市場において根強いユーザーがいる

【最新情報提供の充実】

KOL及び全国の血液内科医療従事者と広範なネットワークを構築。ブランド企業として、DXを活用した定期的なセミナー開催などネットワークをフルに活用し情報提供を継続

【確認された安全性】

日本人患者（38症例）の臨床試験を実施、さらに、イーグル社が行った米国臨床試験の安全性データと合わせ承認取得

市場環境等：ブリンシドフォビル

ブリンシドフォビル開発検討領域における年間の推計患者数

*年間患者数：年間の新たな発生数に、起因となるウイルスの比率を乗じて当社推計

		年間患者数*
		全世界
感染症	造血幹細胞移植後 アデノウイルス感染症	2,000
	腎移植後 BKウイルス腎症	8,000
	移植後 サイトメガロウイルス感染症	25,000
がん	膠芽腫	30,000
脳神経 変性疾患	多発性硬化症	---
	アルツハイマー型認知症	---

今後の臨床データにより
算定検討中

現在、造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症と腎移植後BKウイルス感染症で第Ⅱ相臨床試験が進行中
移植後サイトメガロウイルス感染症においては第Ⅱ相臨床試験実施準備中

→p.9「開発パイプライン」参照

Source:

- GlobalData plc.
- 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
より当社推計

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

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

SAB (サイエンティフィック・アドバイザー・ボード)

世界の研究機関との共同研究

2) 承認済み薬剤の価値最大化・自社販売体制

トレアキシンの価値最大化

3) シンバイオファーマUSAからグローバル展開へ

4) ブリンシドフォビルの用途特許取得による開発プラットフォーム構築

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。












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 サイエンティフィック・アドバイザリー・ボード (SAB)

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ーバル開発兼CMO		ロバート・ルイス	前アベンティス上級副社長 兼 ブリッジウォーター研究所最高責任者
	堀田 知光	公益財団法人がん研究振興財団 理事長 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 公益財団法人実験動物中央研究所 理事		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	慶應義塾大学名誉教授 埼玉医科大学学長		平家 俊男	京都大学名誉教授 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

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 グローバル共同研究の提携先と対象領域・適応症（2024年3月現在）

脳神経変性疾患	<ul style="list-style-type: none"> ● 国立衛生研究所 国立神経疾患・脳卒中研究所（NIH/NINDS） …BCVについて、共同研究開発契約（CRADA）を締結しました。本契約は多発性硬化症の治療におけるBCVのEBウイルスに対する効果を検証し、今後の臨床試験の実施に向けて必要とされる情報を得ることを目的としています。 	
	<ul style="list-style-type: none"> ● タフツ大学 …BCVについて、受託研究契約を締結しました。共同研究においてタフツ大学が確立した3次元脳モデルを用いて、BCVの単純ヘルペスウイルス1型（HSV-1）感染モデルに対する効果の検証を行っています。 	
がん・血液腫瘍	<ul style="list-style-type: none"> ● 国立衛生研究所 国立アレルギー・感染症研究所（NIH/NIAID） …EBウイルス関連疾患に関する共同研究開発契約（CRADA）を締結しました。細胞および動物モデルにおいてEBウイルス感染および関連疾患を反映できるトランスレーショナル・プラットフォーム（臨床への橋渡し研究基盤）を用いて、BCVのEBウイルス疾患に対する標的治療としての可能性を評価しています。 	
	<ul style="list-style-type: none"> ● シンガポール国立がんセンター …EBウイルス陽性リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果とその機序の探索に関して、シンガポール国立がんセンターとの共同研究を開始しました。共同研究成果は2022年12月の第64回ASH、2023年6月ICMLにおいて口頭発表に採択され、Dr. Jason Y Chanにより発表されました。2024年4月のAACRにおいても学会発表を行う予定です。 	
	<ul style="list-style-type: none"> ● カリフォルニア大学サンフランシスコ校 …脳腫瘍に対するBCVの抗腫瘍効果を検討する非臨床試験を実施しています。 	
ウイルス関連	<ul style="list-style-type: none"> ● ペンシルバニア州立大学医学部 …ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証するための非臨床試験を実施しています。 	
	<ul style="list-style-type: none"> ● 国立感染症研究所 …これまで応答性が不明だった血清型を含む17種類の異なる血清型アデノウイルスに関してBCVの抗ウイルス活性を検証し、共同研究成果が2022年論文発表されました。 	
その他	<ul style="list-style-type: none"> ● 東京大学 …ベンダムスチン・リゴセルチブの有用性の探索を行っています。 	
その他	<ul style="list-style-type: none"> ● 京都大学 …ベンダムスチンの奏効機序に関する共同研究を行っています。 	

略語注

BCV: brincidofovir (プリンシドフォビル)
ASH: American Society of Hematology

ICML: International Conference on Malignant Lymphoma
NIH: National Institutes of Health
NINDS: National Institute of Neurological Disorders and Stroke

CRADA: Cooperative Research and Development Agreement

成果を生み始めた研究戦略

世界の知を取り込む、各治療領域の最高峰の研究者と共同

移植後感染症

ペンシルベニア州立大学
ポリオーマウイルス

血液腫瘍・がん領域

NIAID国立感染症・アレルギー研究所
EBウイルス: リンパ増殖性疾患
CRADA

カルフォルニア大学サンフランシスコ校
膠芽腫

シンガポール国立がんセンター
EBウイルス: リンパ腫

脳神経変性疾患

NINDS国立神経疾患・脳卒中研究所
EBウイルス: 多発性硬化症 CRADA

Tufts University
HSV-1: アルツハイマー型認知症

→→→ 臨床試験開始に向けて、質の高いデータの蓄積を目指す

2) 承認済み薬剤の価値最大化・自社販売体制

3) シンバイオフーマUSAからグローバル展開へ

2) 承認済み薬剤の価値最大化・自社販売体制

- 地域密着型の営業体制とオンデマンドのオンライン面談
- 医師、スタッフのニーズに応える学術セミナー
- サプライチェーンマネジメントの着実な展開

3) シンバイオフーマUSAからグローバル展開へ

- 2021年3月に、アデノウイルス感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験を開始するため、FDAに治験許可申請（Investigational New Drug (IND) Application）を行いました。本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指定を受けており、2021年8月には1例目(FPD：First Patient Dosing)の投与を開始し、試験を継続しております。またサイトメガロウイルス感染症に関する臨床試験開始に向けた準備を進めております。
- グローバル開発体制の大幅な拡充を行い、シンバイオフーマUSAを国際臨床試験の推進役として、抗ウイルス薬BCVの開発計画を主導し加速させました。
- 欧州における子会社であるSymBio Pharma Ireland Limited（本社：アイルランド ダブリン）の設立に伴い、エマージェント・バイオリュレーションズ社から、EU（欧州連合）における免疫不全患者におけるアデノウイルス感染症とサイトメガロウイルス感染症予防に対するオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定が移管されました。

4) BCV事業 プラットフォームの構築の仕組み

IV BCVのPOCの用量と投与スケジュールが開発の基盤

IV BCV 0.4mg/kg 週2回の用量を起点

➔ ①臨床開発のリスク軽減 ②開発期間の大幅な短縮が可能

①ステップ1

◆ IV BCVのPOCを確立

移植後ウイルス感染症
AdV, CMV, BKVN, HHV6等

急性疾患

②ステップ2

◆ 抗がん活性の確立と
免疫チェックポイント阻害剤との
相乗効果

血液腫瘍・固形がん領域
EBVリンパ腫、GBM、HPV等

③ステップ3

◆ ウイルス関連の疾患
の治療薬としての可能性

脳神経変性疾患(MS/AD)
自己免疫疾患

慢性疾患

2023年5月に、注射剤BCVのPOCが確立しました。

(2023年5月29日付プレスリリース)

このことを基盤として、二本鎖DNAウイルスに対し幅広く強い活性を持つBCVの開発をよりリスクを減らし、より早く臨床開発を進めてゆくためのプラットフォーム化をすすめてまいります。

また、このデータを基に2024年1月にはアデノウイルス感染および感染症に対する注射剤プリンシドフォビルによる用途特許を日本において取得した事を発表しました。

(2024年1月19日付プレスリリース)

IV BCVのPOCが基盤となり
BCV事業のプラットフォーム事業を推進

BCVは1つの化合物であるが、多くの疾患に対する治療薬として事業化

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

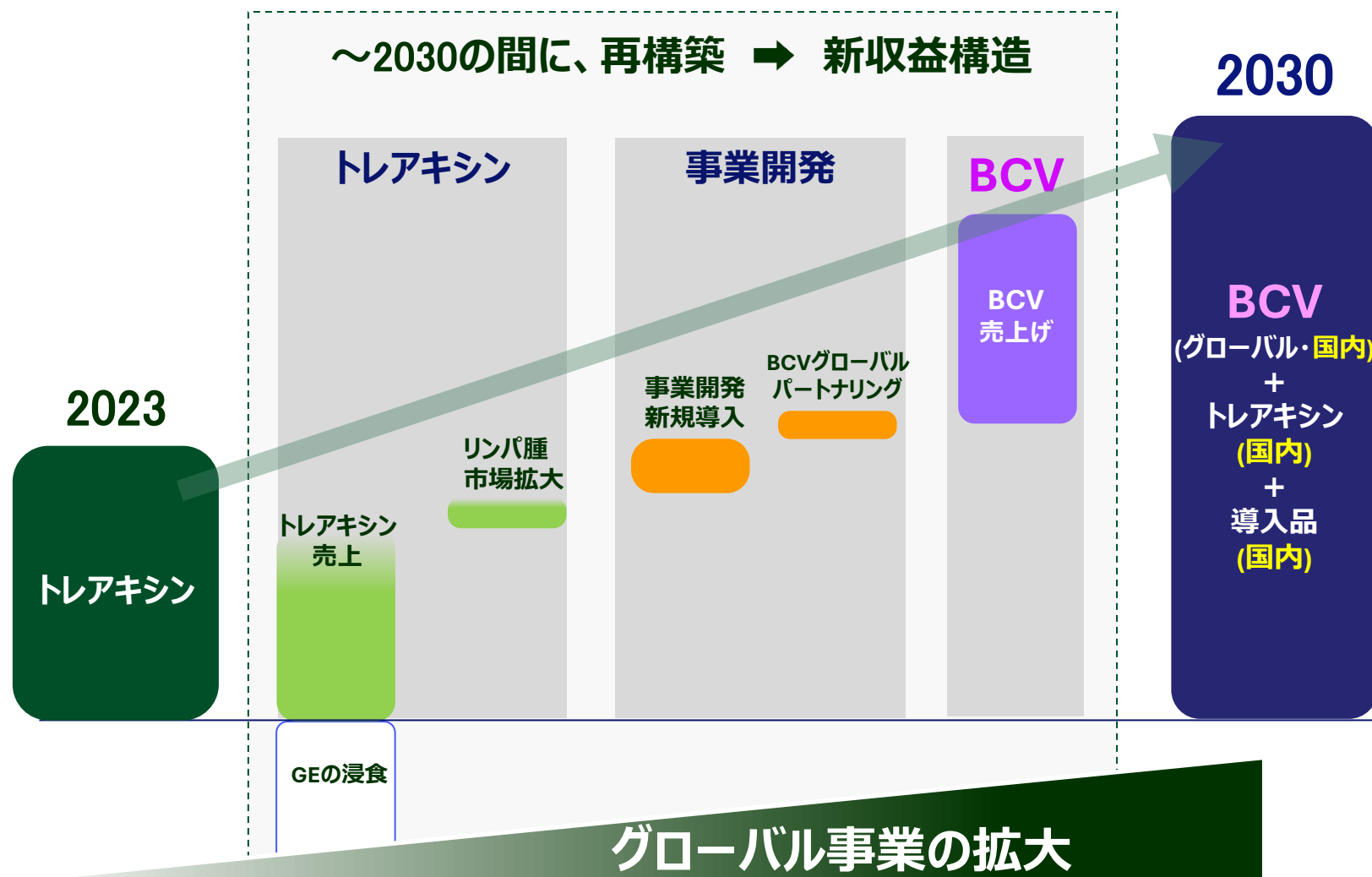
第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

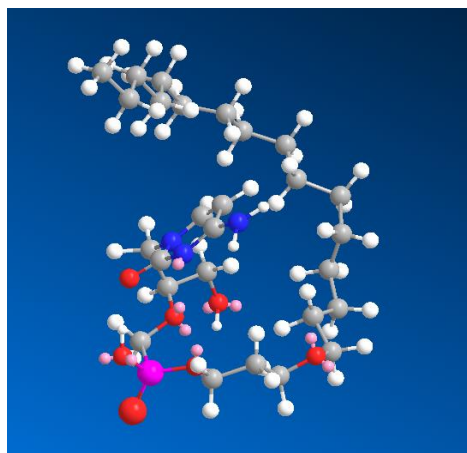


2030年に目指すは、日本とグローバルの売上比率 50:50



ブリンシドフォビル (brincidofovir:BCV)

高い抗ウイルス活性と広域スペクトラムを合わせ持つゲームチェンジャー



抗ウイルス活性 IC50 (μM)

C_{max} after oral 100 mg BCV: 0.445 μM

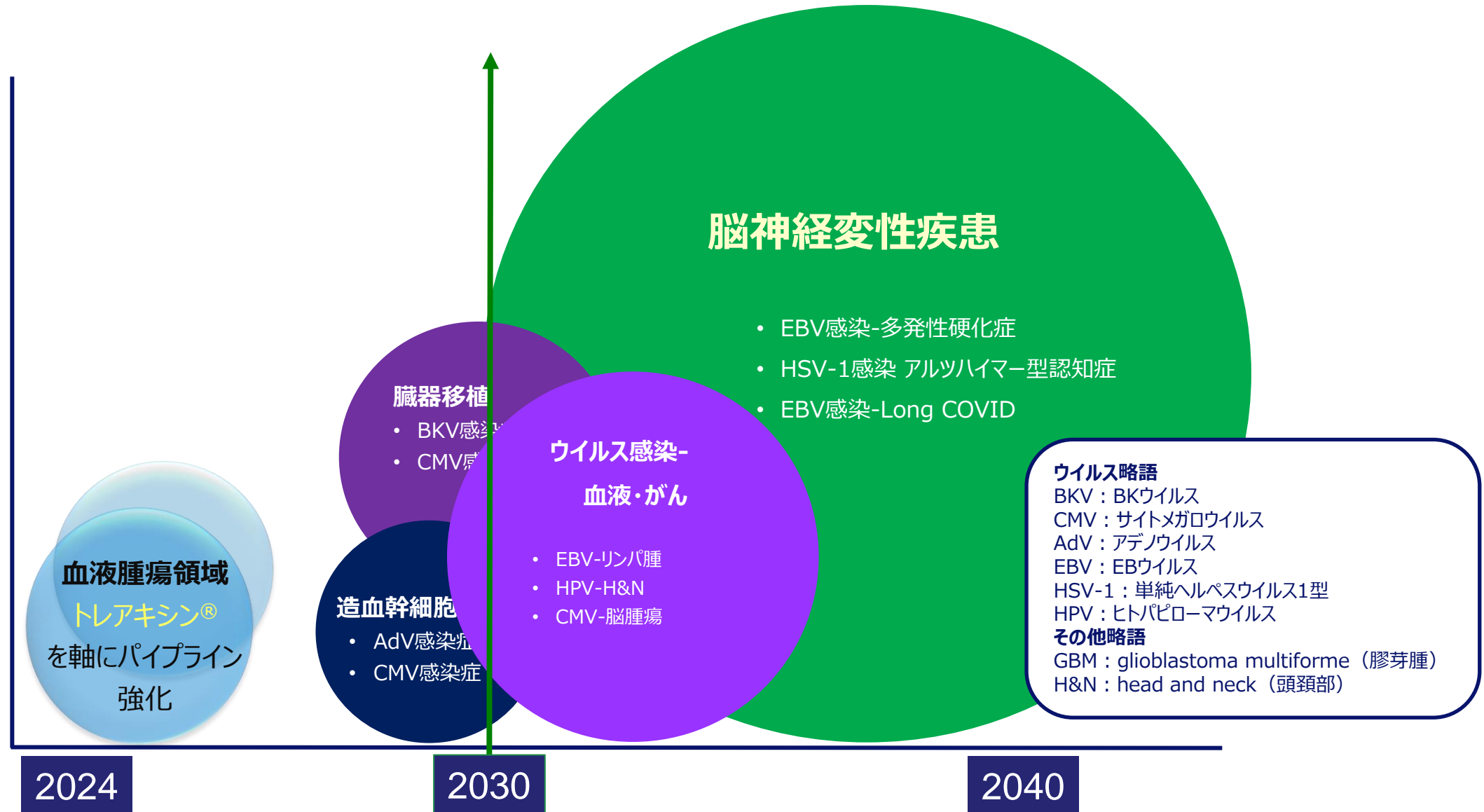
Viral Family	Virus	BCV	Cidofovir	Maribavir	Letemovir	Ganciclovir*	Foscarnet	Acyclovir
Herpes	Cytomegalovirus	0.001	0.4	0.31	0.005	3.8	50-800	>200
	Epstein-Barr Virus	0.03	65.6	0.63	>10	0.9	<500	6.2
	Human Herpesvirus 6	0.003	2.7	Inactive	>10	5.8	16	10
	Human Herpesvirus 8	0.02	2.6	Inactive	—	8.9	177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

2019年9月にキメリックス社との間で抗ウイルス薬BCVに関する独占的グローバルライセンス契約を締結し、天然痘・サル痘を含むオルソポックスウイルスの疾患を除いたすべての適応症を対象とした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ました。

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。

なお、キメリックス社は、2020年12月、FDAが天然痘の医学的防衛策としてBCV OralのNDAの提出を受理したことを発表しておりましたが、2021年6月にFDAから承認を取得しました。

“Pipeline Within A Molecule” のプラットフォームが可能ならしめる →マルチ治療領域+グローバル事業の展開



2023年度の事業成果 → “事業の転換点”

- 1 注射剤BCVの POC* を確立
- 2 アメリカ国立衛生研究所（NIH）と2つのCRADA(共同研究開発契約) を締結
- 3 主要学会において、3つの研究開発の成果 を発表**
- 4 製品売上55.9億円（対前年比44.1 %減、対計画比99.8%）
- 5 事業のグローバル化 の進展（SPUの経営体制の再構築）
- 6 注射剤ブリンシドフォビル 用途特許 を取得（24年1月）

* POC: Proof of Concept

**

①第17回国際リンパ腫会議

②第9回 ECTRIMS-ACTRIMS合同学会

③第65回米国血液学会

2023年度 損益計算書

2023年度 業績ハイライト

- 売上高は55.9億円（前年比44.1%減）：ジェネリックの浸透及び薬価下落の影響
- 売上総利益は44.1億円（前年比42%減）：売上総利益率は78.9%(前年比3%)に改善
- 販売費及び一般管理費は52.2億円（前年比7.3%減） 研究開発費はBCV開発費増のため26.4億円（前年比3.3増）
- 営業損益は8.1億円の損失（27.8億円減）：売上総利益の減少、及び販売及び一般管理費の減少
- 当期純損益は19.6億円の損失（31.4億円減） 特別損失5.6億円（建物・工具器具及び備品・ソフトウェア・敷金の減損）
- 繰延税金資産取り崩し・法人税等調整額（7.4億円の損を計上）

(単位：百万円)	2023年度 実績	2022年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	5,589	10,008	△ 4,418	-44.1%
製品売上	5,589	10,008	△ 4,418	-44.1%
売上原価	1,178	2,408	△ 1,229	-51.1%
売上総利益	4,411	7,599	△ 3,188	-42.0%
販売費及び一般管理費	5,222	5,636	△ 413	-7.3%
研究開発費	2,638	2,554	83	3.3%
営業損益	△ 811	1,963	△ 2,775	-
当期純損益	△ 1,962	1,179	△ 3,142	-

(単位：百万円)

※金額は単位未満を切り捨てて表示

2023年度 貸借対照表

2023年度 業績ハイライト

- 流動資産は80.8億円（前年比12.3億円減）現金及び預金は65.2億円（2.3億円増）
- 資産合計は81.7億円（前年比22.6億円減）
- 社屋移転等による固定資産の減損により、10.3億円減
- 第三者割当（EVO FUND（注））を実施し、6.9億円を調達
- 自己資本比率は、84.9%（前年比7.3%向上）

（単位：百万円）	2023年12月末	2022年12月末	増減
流動資産	8,082	9,312	△ 1,230
現金及び預金	6,517	6,282	234
固定資産	87	1,120	△ 1,032
資産合計	8,170	10,433	△ 2,263
流動負債	956	1,923	△ 967
固定負債	3	3	0
純資産（株主資本等）	7,209	8,506	△ 1,296
負債純資産合計	8,170	10,433	△ 2,263

（単位：百万円）

※金額は単位未満を切り捨てて表示

（注） 割当先のEVO FUNDは、上場株式への投資を目的として2006年12月に設立されたファンド（ケイマン諸島法に基づく免税有限責任会社）です。割当先の保有方針割当予定先は、純投資を目的としております。

調達資金の充当状況

● 第三者割当による新株式及び第58回新株予約権の発行及び行使による資金調達

調達手段	調達予定金額	公表済み資金用途	調達実施額	実績支出金額
第三者割当による新株式	622	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	622	622
第58回新株予約権の発行及び行使	1,173	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	13	13
	395	長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入や M&A 等の投資資金	-	-
合計	2,190		635	635

● 第三者割当による新株式の発行による資金調達※

※調達の詳細は、[2023/10/6付開示](#)をご参照ください

調達手段	調達予定金額	公表済み資金用途	調達実施額	実績支出金額
第三者割当による新株式の発行	1,400	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	1,224	1,224
	186	長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入や M&A 等の投資資金	0	0
合計	1,586		-	1,224

2024年度 通期業績予想

2024年度 通期業績予想のハイライト

- 売上高は36.4億円（35%減）：4月の薬価切り下げとジェネリックの浸透を見込む
- 売上総利益は27.9億円（36.8%減）：売上減少と薬価下落の影響
- 販管費は56.2億円（前年比7.7%増） 研究開発費はBCV開発本格化し、21.6%増の32.1億円を見込む
- 営業損益は28.4億円の損失（20.3億円減）
- 当期純損益は28.7億円の損失（9.1億円減）

(単位：百万円)	2024年度 業績見通し(注)	2023年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	3,641	5,589	△ 1,948	-34.9%
製品売上	3,641	5,589	△ 1,948	-34.9%
売上原価	855	1,178	△ 323	-27.5%
売上総利益	2,787	4,411	△ 1,625	-36.8%
販売費及び一般管理費	5,624	5,222	401	7.7%
研究開発費	3,208	2,638	569	21.6%
営業損益	△ 2,837	△ 811	△ 2,026	-
当期純損益	△ 2,870	△ 1,962	△ 907	-

(単位：百万円)

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

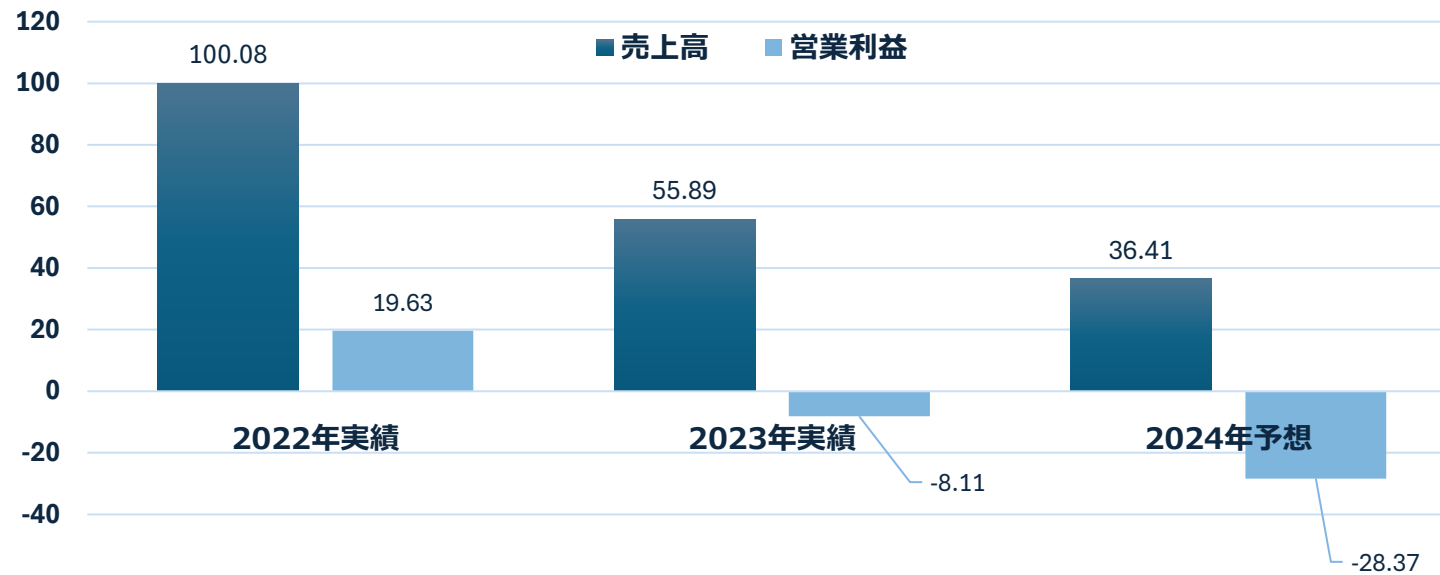
(注) 2024年度予想為替レート：¥141.83/\$

経営目標と利益計画

第二の創業の経営目標 “グローバル・スペシャリティファーマの実現”

- 2024年12月期 プリンシドフォビル開発の着実な推進、パイプラインの拡充と進化及び事業グローバル化への対応

(単位：億円)



現在のプリンシドフォビル開発計画その他に基づく
2024年の計画は左記の通りです。

→業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠
は次ページ (p.35) 参照

業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

- 2024年度12月期の見通しについて、売上高はトレアキシン[®]が新薬創出加算の対象から外れることによる薬価の大幅な引き下げ及びトレアキシン[®]の後発医薬品販売の影響により、前事業年度から34.9%減収の3,641百万円となる見込みです。
- なお、トレアキシン[®]の後発医薬品に対しては、特許権侵害に基づく製造販売の差止訴訟を提起いたしました。が、結審までには時間がかかるため、売上高への影響は含まれておりません。
- 研究開発につきましては、アデノウイルス感染症を始めとする抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル開発を推進させ、長期的な企業価値向上を目的としたアカデミアとの共同研究による新規適応症の開発や、更なる新薬開発品導入に向けた検討を進め、研究開発費は3,207百万円（2023年12月期実績2,638百万円）と増額を見込んでいます。以上の結果、2024年12月期は、売上高3,641百万円、営業損失2,837百万円、経常損失2,867百万円、親会社株主に帰属する当期純損失2,870百万円を見込んでいます。

進捗状況：ブリンシドフォビル(BCV)：現在の開発状況

- **実施中・準備中の臨床試験：**

1. 造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症 第Ⅱ相臨床試験においてPOCが確立しました。
2. 腎移植後BKウイルス感染症 第Ⅱ相臨床試験において、現在プロトコールの再検討中です。
3. 造血幹細胞移植後サイトメガロウイルス感染症 第Ⅱ相臨床試験の実施を準備中です。

- **探索的研究/非臨床試験：**

1. 膠芽腫：動物モデルにおいてBCVの抗腫瘍・抗ウイルス活性を確認するための非臨床試験が、米国カリフォルニア大学サンフランシスコ校で実施中。
2. 多発性硬化症：2023年3月に、NIH傘下の米国国立神経疾患・脳卒中研究所（NINDS）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。本契約は多発性硬化症の治療におけるBCVのEBウイルスに対する効果を検証し、臨床試験の実施に向け必要とされる情報を得る事を目的としている。2023年10月には欧州多発性硬化症学会（ECTRIMS）で研究成果が発表された。
3. EBウイルス疾患：2023年4月に、NIH傘下の米国国立アレルギー・感染症研究所（NIAID）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
4. NK/T細胞リンパ腫・B細胞リンパ腫：シンガポール国立がんセンターとの共同研究において、BCVは高い抗腫瘍活性とバイオマーカーに関する研究成果が、2022年米国血液学会年次総会、2023年国際リンパ腫会議で口頭発表された。
5. アルツハイマー型認知症：米国タフツ大学との共同研究において、同大学により確立された3次元脳モデルを用いて、単純ヘルペスウイルス1型（HSV-1）感染モデルに対する効果を検証する非臨床試験を実施中。

2024年度事業 キーマイルストーン

IV BCV 開発事業			
時期	臨床試験	時期	非臨床試験
Q2	AdV FDAとの EOP2 Meeting	Q3	シンガポール国立がんセンター 研究結果報告
Q2	AdV EMAとの SA Meeting	Q3	NIH/NINDS MS動物モデル実験結果報告
Q2	CMV 第Ⅱ相臨床試験開始 FPI	Q4	タフツ大学 共同開発結果 報告
Q4	AdV グローバル第Ⅲ相試験開始 FPI		

2025年度にFIH試験を計画

事業開発（パートナーング・新規導入品）	
時期	事業開発
Q3	日本市場向け新規ライセンス導入
Q3	BCV のパートナーング交渉開始

前回2023年3月31日開示においては、開発タイムラインを開示しておりましたが、2023年8月14日プレスリリースにおいてBKウイルス感染症臨床開発計画の変更とサイトメガロウイルス感染症・脳腫瘍の臨床試験を計画していること、さらに、アデノウイルス感染症の第Ⅱ相試験の終了に向けて今後交渉してゆくことと、現在2024年第4四半期の第Ⅲ相臨床試験開始に向けて、試験プロトコルの検討を現在行っていることから、2024年2月13日に実施した2023年度決算説明会では、翌年～3年後までの予定は開示しておらず、2024年度内のキーマイルストーンを開示しております。

【資金調達方針（予定）】
 今後の事業を実行するため、開発パイプラインの進捗に応じて今後はグローバルパートナーシップ収入や外部資金調達等に対応※

※現時点で決定している事実はありません。決定時点で開示をいたします

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

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導入するほか、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、研究機関との共同研究により併用療法の可能性や新治療領域開発にも取り組んでおります。
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、それぞれ海外の企業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。従って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。	ライセンス元の企業に開発・販売等について当該ライセンス先の状況変化等が生じた場合事業に影響があります。	中	中長期	中	ライセンス元とは円滑な情報交換に努めており、製品の調達にあたっては、必要量および品質の確保および改善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、トレアキシン®一種類しかない点。	トレアキシン®についての競合品等の出現によって市場での競争力が低下する可能性があります。	中	短期	中	ベンダムスチン製剤の市場シェアの成長自体がコロナの影響もあり鈍化しております。コロナの5類移行によってその傾向が改善することを期待しています。 (注：次ページ「後発医薬品の承認について」参照)
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。

*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

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	ライセンス元のEmergent社の支援も受けながら、米国の有力治験実施会社Syneos社を治験業務委託先として起用し、移植後のAdV*およびCMV*感染症への適応のための治験を実施中です。AdV*についてはPh2試験でPOCが確立し、現在、Ph3試験の準備中であり、CMV*についてはPh2試験開始準備中です。ほかにも動物試験の結果を踏まえ順次治験の検討に入っています。
後発医薬品の承認について	2022年2月にトリアキシン®の後発医薬品が承認され、薬価収載が認められたため、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ため、当社の売上・利益が減少傾向となっております。	中	短期	中	特許等に基づく当社グループ製品の保護及びさらなる差別化を行ってゆくことにより競争力の維持に努めております。なお、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を開始した東和薬品およびファイザーの2社に対して特許権の侵害に基づく差止請求及び損害賠償請求の訴訟を2022年12月に提起し現在訴訟が係属中です。
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	中長期	中	体制整備は完了し、黒字確保によって、当面の資金調達は一旦終わっております。今後は、プリンシドフォビルを中核としたグローバル事業展開において、この薬剤の潜在力を活用し、空白の治療領域に対応するため、現在移植領域のウイルス感染症に対する複数の臨床試験を実施しており、内部資金を充当することに加え、グローバル製薬会社との業務提携を進めながら、他方で、投資ファンドへの第三者割当のプログラムを設定し、資金調達を実施中です

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

*AdV: アデノウイルス
*CMV: サイトメガロウイルス

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ます。これについて確約や保証を与えるものではありません。

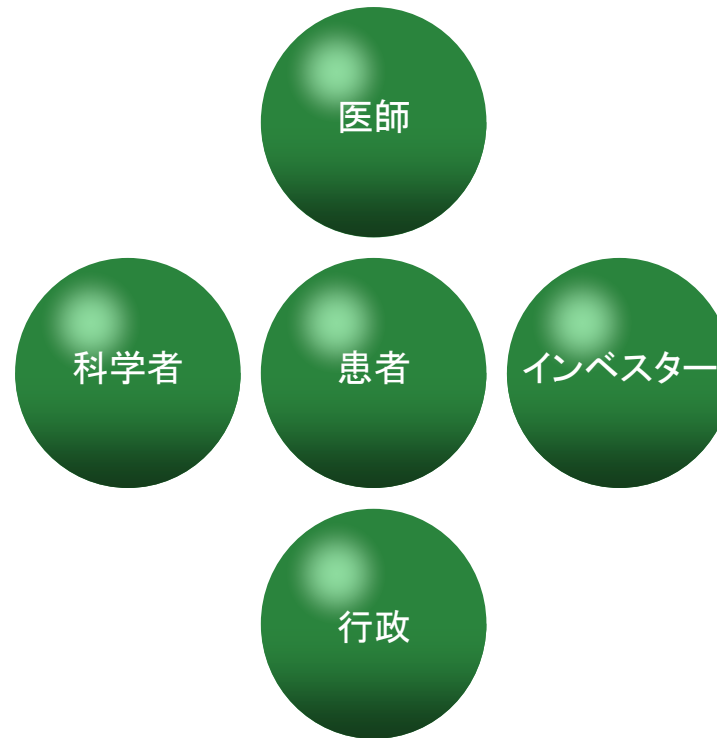
投資等を行われる際には、投資家ご自身の責任と判断で行っていただくことを前提に当該資料をご提示させていただいております。

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2025年2月）または株主総会の時期（次回2025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



<お問い合わせ先>
シンバイオ製薬株式会社 IR 室 03-5472-1125

わかちあう、創薬の喜び