



シンバイオ製薬株式会社

Vol.  
17

第15期 2019年1月1日～2019年12月31日

# SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

社長メッセージ

3つの“化”で異次元へ！  
グローバル・スペシャリティファーマに転換

特集

新薬「ブリンシドフォビル」  
そのポテンシャル



証券コード：4582

## ○ 当社の持続的成長モデル

### 医療のニーズが高い「空白の治療領域」に特化

大手製薬企業が参入しにくく医療ニーズが高いニッチの市場で、多くの医薬品を開発し提供することで高い収益性を目指します。

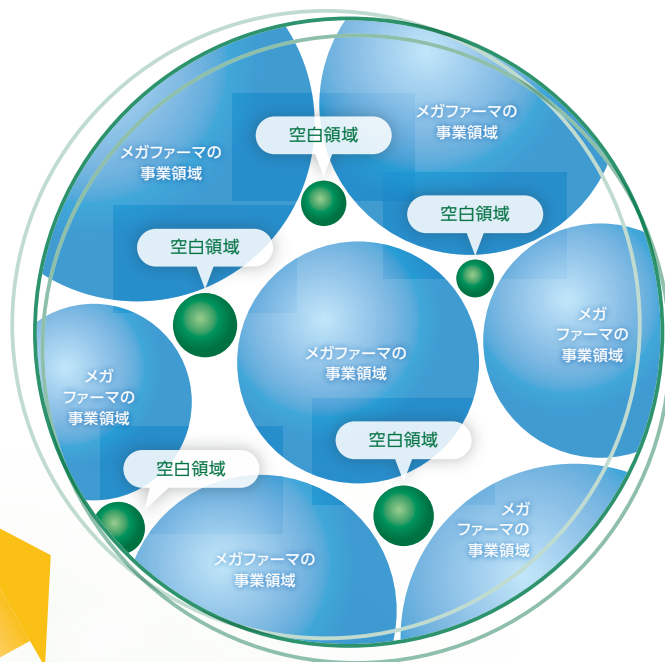
### 卓越した独自の医薬開発モデルを実現

スペシャリストにより医療ニーズと収益性の高い新薬候補品を選定し、高確率で成功する開発により、短期承認を目指します。

### 多彩なパイプラインで事業価値を最大化

トリアキシン®の事業価値の最大化を図るために製品ライフサイクル・マネジメント戦略の強化を推進し、積極的に追加適応症の拡大に取り組みます。

## シンバイオが挑む「空白の治療領域」



シンバイオは、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。

### 経営理念

## 共創・共生

(共に創り、共に生きる)

医師

科学者

患者

開発資金  
提供者

行政



## 3つの“化”で異次元へ！ グローバル・スペシャリティファーマに転換

収益性と成長性を兼ね備えた“第2のシンバイオ”へ

代表取締役社長兼 CEO *伊藤 文昭*

### 開発パイプラインはトレアキシン®を中心に進展 新薬ブリンシドフォビルの導入で更なる強化を図る

2019年11月、当社はトレアキシン®第4の適応症となる再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）の第3相臨床試験において、主要評価項目である奏効率において良好な結果が得られたことを発表しました。2020年度第2四半期の承認申請に向け準備を開始しています。また、重要経営目標であるトレアキシン®液剤「RTD製剤」の承認申請も2019年9月に完了しており、当社の開発パイプラインは順調に進展しています。

なお、進行性固形がんおよび全身性エリテマトーデス（SLE）を対象としたトレアキシン®経口剤の開発については、前臨床試験を完了し当初の試験目的は達したものの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導入した抗マルチウイルス薬「ブリンシドフォビル」の開発を優先し、パイプラインの更なる強化を図ってまいります。

### グローバル・スペシャリティファーマへの転換を 推進する中期経営計画を策定

中期経営計画（2020年12月期～2022年12月期）においては、必達目標である2021年度の収益化を実現し、それに続く2022年度において持続的に成長を図ることを最優先の経営目標に掲げています。長期的な企業価値の増大を目標として、パイプライン全体の事業価値の向上とともに、自社販売体制の構築およびグローバル事業展開の準備を鋭意進めてまいります。2020年度は自社販売体制の構築を完了し、新薬ブリンシドフォビルの日本およびグローバルでの開発に着手してまいります。新中期経営計画を着実に実行することにより、開発・製造・販売までの一貫したサプライチェーンを具備したグローバル・スペシャリティファーマへとトランスフォーメーションを推進してまいります。

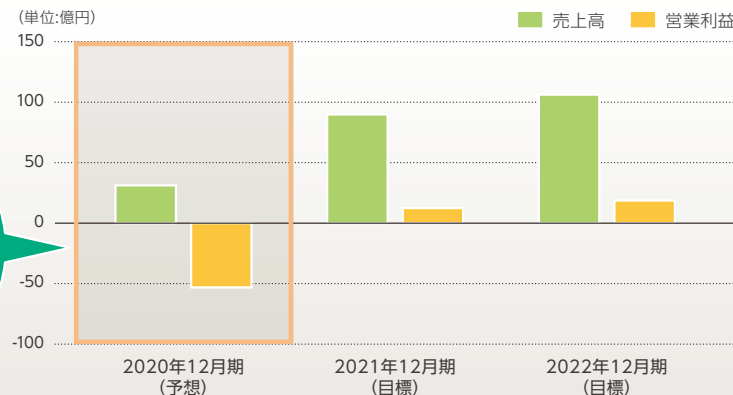
次頁 グローバル・スペシャリティファーマへの布石と戦略

## 2021年黒字化達成後の 持続的な成長戦略

収益性と成長性を  
兼ね備えた  
“第2のシンバイオ”へ

2021年以降の  
収益化に向けて  
創業以来  
最大規模の  
投資を計画

中期経営計画 (2020-2022)



### 収益化を目指し自社販売体制のもと トレアキシン®プラットフォームを拡充

当期中期経営計画においては2021年度年初より本格稼働する自社販売体制のもと、①トレアキシン®RTD液剤への早期切り替え、②r/r DLBCLの適応追加承認後の市場浸透拡大、③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100億円の早期達成により、2021年の黒字化と持続的な成長の実現を目指します。

トレアキシン®の販売においては、自社により専門的な情報提供を行うことによって市場のニーズを今まで以上に的確に把握し、かつ迅速に応えることが可能となります。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、現在開発中のリゴセルチブが販売品目に加わった際には、より高い事業効率を達成することを期待しております。

### 標準療法であることの強みをフルに活かした トレアキシン®の事業戦略

トレアキシン®は、2018年7月に一般社団法人 日本血液学会が発行した「造血器腫瘍診療ガイドライン 2018年版」にリツキシマブとの併用療法 (BR療法) が記載され、名実ともに悪性リンパ腫における標準療法となりました。さらに2019年3月には腫瘍特異性T細胞輸注療法の前処置に関する一部変更の承認を取得したことにより、国内初のCAR-T療法の前処置として使用可能になりました。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、トレアキシン®の標準療法としての位置づけはより強固なものとなりつつあります。

また、新規適応症の追加と剤形追加によるライフサイクル・マネジメントを積極的に推進することによっても本剤の事業価値の最大化を図ってまいります。

## 3つの“化”で異次元へ

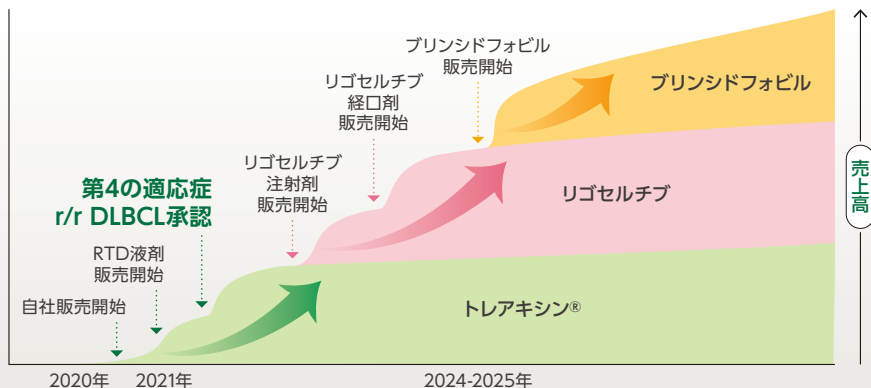
2021年の事業黒字化

事業のグローバル化

より高い収益と  
高品質を追求して自製化

グローバル・  
スペシャリティファーマへ  
脱皮

## 売上高の将来イメージ



## グローバル事業展開の布石となる 新薬プリンシドフォビル(BCV)の導入

当社は2019年9月、抗マルチウイルス薬「プリンシドフォビル(注射剤および経口剤)」について、米国キメリックス社と独占的グローバルライセンス契約を締結しました。天然痘を除くすべての疾患を対象とし、世界全域における開発・製造・販売の独占的権利を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・スペシャリティファーマへの転換を進めてまいります。

BCV  
戦略の  
point

- 1 造血幹細胞移植後&臓器移植後のウイルス感染症の治療は「**空白の治療領域**」
- 2 対象地域は日米欧を含む**世界全域**
- 3 天然痘を除く**すべての**対象疾患
- 4 開発・**製造**・販売を含めた独占的ライセンス

## グローバル・スペシャリティファーマへの脱皮に 必要な3つの“化”

シンバイオが真のグローバル・スペシャリティファーマとして大きく飛躍するためには、2021年の黒字化、事業のグローバル化とともに、より高い収益と高品質を追求すべく自社製造体制の構築が必要であると考え、自社販売体制構築後の重要テーマと位置づけています。バイオの本場である米国においても、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ医薬企業は極めて少数です。当社は異次元ともいふべき“第2のシンバイオ”へとトランスフォーメーションをすべく事業を推進してまいりますので、株主の皆さまにおかれましては引き続きご期待をいただきたいと思います。

代表取締役社長兼 CEO

吉田 文紀

## 高度な専門性に基づいた ハイパフォーマンスな 全国営業組織の構築

人材・物流の両面において  
組織体制構築が順調に進捗



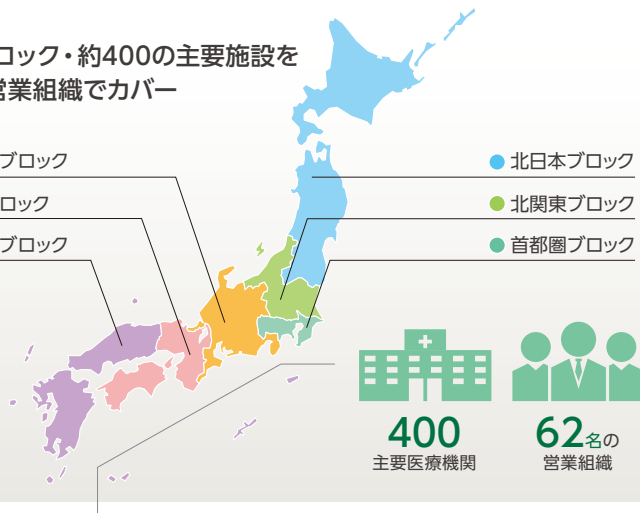
木村 重雄

取締役常務執行役員  
兼 CCO

○ 全国6ブロック・約400の主要施設を  
62名の営業組織でカバー

- 中日本ブロック
- 関西ブロック
- 西日本ブロック

- 北日本ブロック
- 北関東ブロック
- 首都圏ブロック



### 血液領域に特化したハイレベルな 営業組織による情報提供

当社のトリアキシン®は、現在国内で約900の医療機関などに採用いただいています。そのうち約400施設が血液領域の主要医療機関であり、売上全体の約9割を占めています。ここに在籍するドクター約1,200名を主要なターゲットとして、当社営業組織の中核と位置づけるトリアキシン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います。

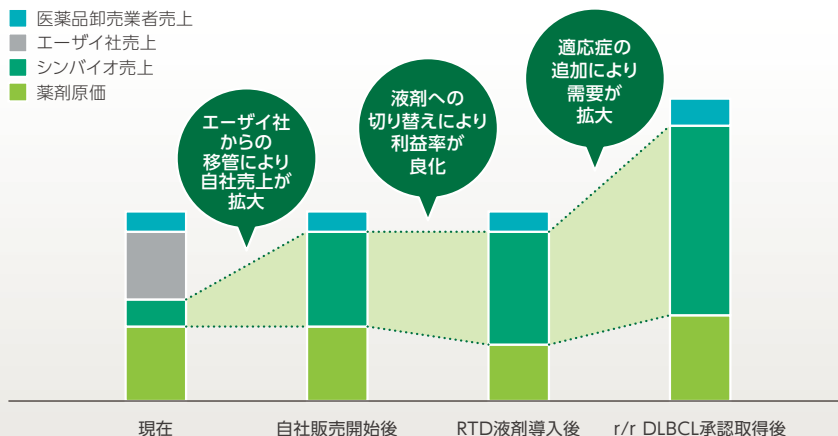
トリアキシンマネージャーは、高度な専門性によってドクターと直接対話する営業活動を大原則としています。患者さんのバックグラウンドや治療経過などまで深く理解したうえでドクターをサポートできるレベルまで能力を培ったうえでフィールドに出られるような人材育成を行っています。

### ヘマトロジー・エキスパートが強化する リレーションシップ・マーケティングを重視

トリアキシン®は悪性リンパ腫の標準療法として国内50%以上のシェアを持つトッププロダクトとなっています。2020年度の営業活動における戦略は選択と集中であり、ターゲットセグメンテーションを明確にし、ドクターとの強い信頼関係に基づいたリレーションシップ・マーケティングに注力していきます。このため当社では4名の「ヘマトロジー・エキスパート」が新たに就任し、トリアキシンマネージャーが各担当地域で得る現場の声を全社横断的に共有・分析します。情報提供活動における医療従事者向けのセミナーやウェブコンテンツ制作においても、現場のニーズをとらえた的確な企画立案ができる点が大きな強みです。

## ○ トレアキシン<sup>®</sup>薬価に対する 売上と原価の変化イメージ

現在はエーザイ社に販売を委託していますが、自社販売開始により自社売上高が拡大します。その後もRTD液剤への切り替え、第4の適応症となるr/r DLBCLの承認取得により大幅な需要拡大を見込みます。



## 液剤への切り替えと第4の適応症追加により 中長期的な成長を確保

自社販売体制の構築は2021年黒字化の重要成功要因のひとつですが、RTD液剤の承認取得、トレアキシン<sup>®</sup>第4の適応症となる r/r DLBCL の承認取得も当社の持続的な成長にとって極めて大きなインパクトを持ちます(右上図)。

トレアキシン<sup>®</sup>液剤(RTD製剤およびRI製剤)に関しては米国イーグル・ファーマシューティカルズ社と、日本における独占的ライセンス契約を締結しています。この契約により特許保護を通じて製品ライフサイクルを延長でき、現行の凍結乾燥品に比べ利益率の良化も見込まれます。

また、r/r DLBCLは悪性リンパ腫の中でも患者数が多く、確立された治療法がない現状であり、承認取得後は潜在市場規模が大幅に拡大する見込みです。

## リゴセルチブ、布林シドフォビルも 独自の営業体制で日本全国へ展開

全国営業組織の完成に不可欠である流通および物流機能も整備すべく、医薬品卸売業者との業務提携および物流センターの東日本地域と西日本地域の2拠点化の確立や、ERPなど社内のインフラ整備も進行しています。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、きわめて順調に進捗しています。

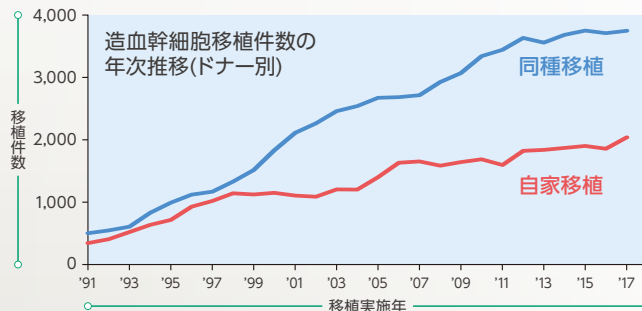
将来的には当事業の第2の柱となるリゴセルチブ、第3の柱となる布林シドフォビルもこの体制のもと日本全国へ展開していきます。血液およびがん領域のスペシャリティファーマとして患者さんの利益に資するとともに、当社事業価値の最大化を図ってまいります。

## 新薬「布林シドフォビル」 そのポテンシャル

広範囲のDNAウイルス感染症に対し  
有効な治療方法となりうる

国内の造血幹細胞移植は、健康なドナーから移植を受ける「同種移植」、自身の細胞を用いる「自家移植」に大別されます。移植手術後に頻発するウイルス感染症が深刻な問題となっており、広範囲の抗ウイルス薬の必要性が高まっています。

○ 日本国内の造血幹細胞移植数は  
増加の一途をたどる



参考：一般社団法人 日本造血細胞移植データセンター  
「2018年度 日本における造血幹細胞移植の実績」

### 医療ニーズの高い造血幹細胞移植後の ウイルス性疾患がターゲット

当社が開発着手した新薬「布林シドフォビル」は、造血幹細胞移植後および腎臓移植後のウイルス性出血性膀胱炎の治療を最初の疾患ターゲットとしています。日本国内では高齢化や医療の進歩により、移植手術を受ける患者数が増加傾向にあります。移植手術の患者さんは、術後さまざまな感染症や合併症のリスクにさらされます。本開発の疾患ターゲットとなる疾病は予後が極めて悪い深刻なウイルス感染症であり、「空白の治療領域」となっています。

布林シドフォビルは、米国ですでに承認されている「シドフォビル」の脂質結合体として新しい作用機序を持ちます。高い抗ウイルス活性、優れた安全性に加え、シドフォビルの深刻な副作用である腎毒性を回避できる点で、治療現場から切望される新薬です。

### 開発・製造・販売の一貫したサプライチェーンを 具備したグローバル・スペシャリティファーマへ

布林シドフォビルの開発においては、消化器毒性を回避でき開発成功の可能性が高い注射剤を先行し、その後、経口剤の開発も視野に入れていきます。同剤はシンバイオの既存事業である血液疾患領域との相乗効果も極めて高いことから、持続的な事業拡大を見込んでいます。

また、当社は布林シドフォビルについて製造権も含めた独占的グローバルライセンスを取得しており、将来的には臓器移植手術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への展開も見込んでいます。移植手術数の増加傾向によって合併症の治療ニーズも拡大するとみられ、当社はそれらの医療ニーズにも応えるべく、開発・製造・販売までの一貫したサプライチェーンを具備したグローバル・スペシャリティファーマへと飛躍してまいります。



治療の最前線から専門医のメッセージ

## 造血幹細胞移植後の合併症はまさに “空白の治療領域”。1日も早い開発を切望します



金沢大学  
医薬保健研究域医学系  
血液内科学教授

中尾 真二 先生

**Profile:** 我が国の骨髄移植創生期に、金沢大学医学部附属病院で血液内科学・骨髄移植を研修。99年に金沢大学医学部内科学第三教授。日本内科学会評議員、日本血液学会理事、日本造血細胞移植学会理事、日本学術会議連携会員、アメリカ血液学会プログラム委員を歴任。2001年より現職。

皆さんもよくご存じであろう白血病、悪性リンパ腫といった病気は「造血器悪性腫瘍」と呼ばれます。化学療法で治療できない場合は造血幹細胞を健康なドナーから移植する「同種造血幹細胞移植」を行います。

移植手術の難しさは、大量の抗がん剤投与や放射線照射といった前処置によって正常な血液細胞やリンパ球も死滅するため、患者さんの抵抗力が極端に落ちてしまう点にあります。術後、免疫機能をつかさどるリンパ球が成熟するまでには数か月かかります。この間のウイルス感染症が非常に深刻な問題となっているのです。

アデノウイルス／BKウイルスなどによる出血性膀胱炎は、移植治療の現場でとても苦労している合併症のひとつです。出血性膀胱炎にかかると、強い痛みと頻尿、血尿で夜も眠れない状態が2週間以上続きます。そのまま腎障害が遷延したり、ウイルス血症に進展して亡くなる場合もあります。出血性膀胱炎が起こった場合、海外から個人輸入したシドフォビル点滴製剤を第一選択の薬剤として使用しますが、強い腎障害のために十分に投与できない場合があります。つま

り治療域のウインドウが狭いのです。これに対しプリンシドフォビルは腎障害が回避できるという海外の臨床試験結果が出ており、まさに私たち臨床医が切望している薬剤と言えます。

現在、造血幹細胞移植は70代の患者さんであっても明らかな臓器障害等がなければ受けられるようになっており、今後も患者数は増えていくでしょう。現場では、治療関連死を減らしたい、合併症の苦痛を少しでも減らしたいという強い思いで患者さんに向き合っています。プリンシドフォビルは、そこに大きな福音をもたらすのではないかと期待しています。



中尾先生も参画されるシンバイオの「SAB(サイエンティフィック・アドバイザリー・ボード)」は、第一線の医師や専門家で構成される科学的諮問委員会で、年3回開催されています。プリンシドフォビルもこの厳しい審議を経て導入が決定されました。

## 新たに布林シドフォビルが加わり、3本柱で展開

トレアキシン®については、第4の適応症となる r/r DLBCL の第3相臨床試験で主要評価項目(奏効率)を達成し、承認申請に向けた準備を行っています(①)。同RTD製剤については2019年9月に承認申請を行い、2020年下半期に承認取得、2021年初頭からの販売に向けて開発を推進しています(②)。また、抗マルチウイルス薬布林シドフォビルについては、天

然痘を除くすべての疾患を対象として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。これ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・スペシャリティファーマへと転換していきます(③)。

### ① 開発パイプラインの状況

(2020年2月13日現在)

品目	適応症		第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請	承認	
トレアキシン® 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 びまん性大細胞型B細胞リンパ腫(r/r DLBCL)		主要評価項目を達成 ▶ 承認申請 準備中				①	
トレアキシン® RTD液剤	全適応症		2019年9月 承認申請完了				②	
トレアキシン® RI液剤	全適応症		臨床試験 症例登録中					
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					
布林シドフォビル (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					
布林シドフォビル (注射剤)	造血幹細胞移植後の ウイルス感染症(グローバル)		国際共同臨床試験開始の準備				③	
布林シドフォビル (経口剤)	製剤改良の開発(グローバル)		2020年 製剤改良の開発着手					

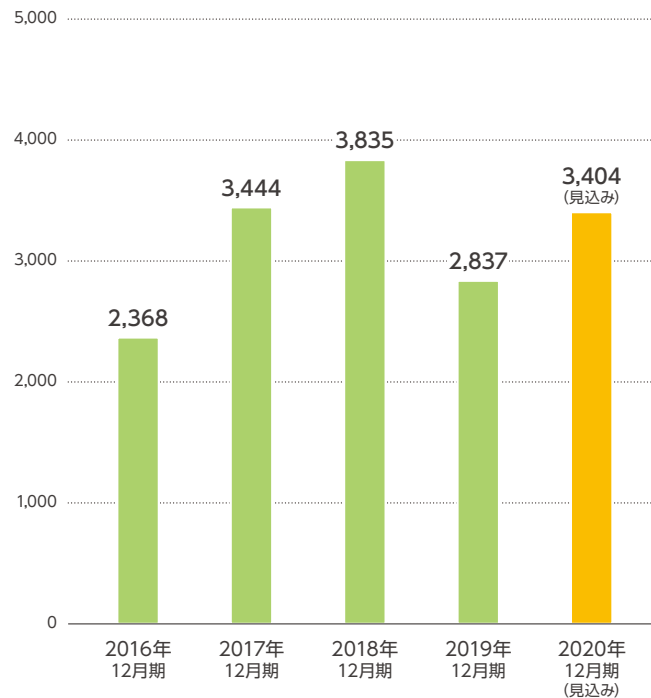
## 2019年度は製品不良問題により減収、今期は2021年度の収益化に向け邁進

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凍結乾燥注射剤において品質問題が生じたことを受けて、製品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当初計画比36.4%の減少、前期比26.0%の減少となりました。

2020年12月期の見通しにつきましては、売上高は、主としてトレアキシン®の国内の製品売上が伸長し、前事業年度から20.0%増収の3,404百万円となる見込みです。当社は長期的な企業価値を高めるため、更なる新薬開発品候補導入のための検討を進め、パイプライン全体の事業価値向上に取り組んでまいります。並行して、2021年度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構築およびグローバル事業展開の準備についても鋭意進めてまいります。

### 売上高

(単位:百万円)



(単位:百万円)	2016年12月期	2017年12月期	2018年12月期	2019年12月期	2020年12月期 (見込み)
売上高	2,368	3,444	3,835	2,837 (前期比-26.0%)	3,404
研究開発費	1,667	3,017	1,832	2,441 (前期比+33.2%)	2,679
当期純損失	△ 2,313	△ 3,977	△ 2,752	△ 4,376	△ 4,803

(注)記載金額は百万円未満を切り捨てております。

## ◎ 会社概要 (2019年12月31日現在)

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	148億7,063万円
事 業 内 容	特定疾病領域(がん・血液・希少疾患) における医薬品の開発および商業化

## ◎ 役員 (2020年3月26日現在)

代表取締役社長兼 CEO	吉田 文紀
取締役常務執行役員兼 CCO	木村 重雄
取締役(社外)	松本 茂外志
取締役(社外)	ブルース・デビッド・チェン
取締役(社外)	ロックフォード・ダグラス・ノービー
常勤監査役(社外)	渡部 潔
監査役(社外)	遠藤 今朝夫
監査役(社外)	海老沼 英次

ホームページのご案内 <https://www.symbiopharma.com/>

## 社長対談

がん患者さんやがん患者さんを支援されている方々、また医療関係者の方々と当社社長の吉田との対談を通じて、がん医療の現状やニーズ、そしてシンバイオ製薬の使命や取り組みなどについてご紹介します。



当社のホームページでは、IR情報の適時適切な開示に努めているだけでなく、経営戦略やパイプラインをわかりやすく説明しています。是非ご覧ください。

**SymBio**  
シンバイオ製薬株式会社

**UD**  
**FONT**

**VEGETABLE**  
**OIL INK**

環境に優しい植物油インキを使用しています。

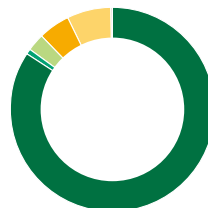
## ◎ 株式の状況 (2019年12月31日現在)

発行可能株式総数	41,750,000株
発行済株式の総数	26,437,681株
株主数	32,754名

株主名	持株数 (株)	持株比率 (%)
吉田 文紀	862,750	3.27
CEPHALON, INC.	647,250	2.45
SMBC日興証券株式会社	538,300	2.04
大和証券株式会社	293,350	1.11
イーザイ株式会社	208,350	0.79
松井証券株式会社	189,300	0.72
GOLDMAN SACHS INTERNATIONAL	185,075	0.70
日本証券金融株式会社	183,900	0.70
太田 和幸	157,700	0.60
野村證券株式会社	155,622	0.59

(注)持株比率は発行済株式の総数より自己株式を控除して計算しております。

## ◎ 株式の分布状況 (2019年12月31日現在)



個人・その他	22,324,709株 (84.44%)
金融機関	183,900株 (0.70%)
その他国内法人	736,177株 (2.78%)
外国人	1,344,955株 (5.09%)
証券会社	1,825,347株 (6.90%)
自己名義株式	22,593株 (0.09%)

## ◎ 株主メモ

事業年度	毎年1月1日から12月31日まで
定時株主総会	毎年3月
株主確定日	毎年12月31日
株主名簿管理人	三井住友信託銀行株式会社
特別口座 口座管理機関	三井住友信託銀行株式会社
同 連 絡 先	フリーダイヤル: 0120-782-031 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部 (受付時間: 土・日・祝日を除く9:00~17:00)
同 郵 送 先	〒168-0063 東京都杉並区和泉二丁目8番4号 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部
上場証券取引所	東京証券取引所 JASDAQ グロース
公告の方法	電子公告により行う <a href="https://www.symbiopharma.com/">https://www.symbiopharma.com/</a>

※ただし、電子公告によることができない事故、その他のやむを得ない事由が生じたときは、日本経済新聞に公告いたします。