

平成 29 年 2 月 9 日

各 位

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)  
問 合 せ 先 経営企画部長 松原 秀樹  
(TEL.03 - 5472 - 1125)

## 平成 29 年 12 月期～平成 31 年 12 月期 中期経営計画

### 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（平成28年1月1日～平成28年12月31日）における当社事業の進捗状況は以下の通りです。

#### 1. 国内

[抗がん剤 SyB L-0501(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、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、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、及び慢性リンパ性白血病を適応症として、業務提携先のエーザイ株式会社（以下「エーザイ」という）を通じ、国内販売を行っています。薬価ベースの売上は対前年比99.2%と微減しましたが、当社からエーザイへの製品売上については、ほぼ計画通りに推移しました。

本剤については、新しい治療方法を必要としている患者さんや本剤の製品価値の最大化のために4つの適応症の取得に取り組んでおり、既に3つの適応症について承認を取得しています。

慢性リンパ性白血病については、平成27年12月に医薬品医療機器総合機構（PMDA）に対し国内製造販売承認申請を行い平成28年8月に効能追加の承認を取得しました。本適応症は、「医療上の必要性が高い未承認薬・適応外医薬品」としての開発要請を厚生労働省から受け実施したものです。既に平成22年10月に製造販売承認取得済みの再発・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に続く2つ目の承認取得となります。

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ついては、平成27年12月に国内における製造販売承認申請を行い平成28年12月に効能追加の承認を取得しました。欧州においては、アステラス・ファーマ社（本社：ドイツ）より、平成28年1月に承認申請を取り下げた旨の通知を受領しましたが、当社は医薬品医療機器総合機構（PMDA）と相談のうえ、国内における承認取得に向けて手続きを進めた結果、当効能追加の承認取得に至ったものです。

再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫については、引き続き適応症追加へ向けた検討を進めています。

[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) ]

平成23年7月に導入した本剤に関し、平成28年10月に医薬品一般的名称 (JAN、Japanese Accepted Names for Pharmaceuticals) の決定通知がありましたので、日本語名を「リゴサチブ」より「リゴセルチブナトリウム」、また英語名を「Rigosertib」より「Rigosertib Sodium」に改めました。リゴセルチブナトリウム (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) が実施している国際共同第Ⅲ相試験の日本における臨床開発を当社が担当しており、国内では平成27年12月に試験が開始されています。本国際共同第Ⅲ相試験は、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 (HMA不応) または治療後に再発した高リスク骨髄異形成症候群 (MDS) を対象とし、全世界から10ヶ国以上が参加して実施中です。当社は、国内で平成28年7月に最初の患者登録を完了し、現在、症例集積が進行中です。

リゴセルチブ (経口剤) については、高リスクMDSを目標効能とした国内第Ⅰ相臨床試験 (アザシチジン (注1) との併用試験) を平成27年12月に開始しておりますが、オンコノバ社からの本試験の治験薬の供給に遅延が生じており、現時点では症例登録が開始されていません。当社は、この治験薬の供給問題が解消され次第、症例登録を再開し、計画通り本試験を終了し、オンコノバ社が実施を計画している国際共同試験への参加を検討してまいります。

(注) アザシチジン (ビダーザ®：販売元日本新薬株式会社)：平成23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薬剤で、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る。

## [自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501]

当社が、平成27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、入院期間中の短期術後急性疼痛管理を適応対象とした国内第Ⅲ相臨床試験を平成28年6月に開始し、平成28年11月に最初の患者登録を完了しました。当社は、本第Ⅲ相臨床試験を早期に終了させ、平成31年の承認取得を目指してまいります。

## [新規開発候補品]

当社は常に中長期的な視点に立ち、収益性と成長性を兼ね備えたバイオ製薬企業へと成長を図るため、新薬開発候補品のグローバルのライセンス権利取得に向け探索評価を継続して実施しました。現在、複数のライセンス案件の交渉が進行中です。

また、当社は平成28年5月に、海外事業展開の戦略的拠点として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、以下「シンバイオフーマUSA」という) を設立しました。シンバイオフーマUSA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・フーマへの転換を加速させてまいります。

## 2. 海外

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、当社の売上は、堅調に推移しております。

## 3. 経営成績

以上の結果、当事業年度の売上高は、トレアキシ<sup>®</sup>の国内向けの製品販売等により、2,368,112千円となりました。製品売上が前年同期比10.6%増加し、更に台湾におけるSyB L-0501の販売マイルストーン達成による権利収入等の計上により、売上高全体で前年同期比22.5%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<sup>®</sup>、リゴセルチブの注射剤及び経口剤、SyB P-1501の臨床試験の費用が発生したことより、研究開発費として1,667,098千円（前年同期比18.1%減）を、その他の販売費及び一般管理費として1,364,143千円（前年同期比24.0%増）を計上したことから、合計で3,031,242千円（前年同期比3.3%減）となりました。

これらの結果、当事業年度の営業損失は2,127,049千円（前年同期は営業損失2,551,662千円）となりました。また、為替差損158,514千円、株式交付費11,658千円、支払手数料8,975千円を主とする営業外費用196,467千円を計上した一方、受取利息5,235千円、保険配当金1,221千円を主とする営業外収益6,710千円を計上したことにより、経常損失は2,316,806千円（前年同期は経常損失2,630,386千円）、当期純損失は2,313,233千円（前年同期は当期純損失2,632,095千円）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、がん・血液・ペインマネジメントの3治療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。これらの領域には、医療上のニーズが強いものの、開発に高度な専門性が求められることから開発の難度は高く、また大手の製薬企業が事業効率の面、採算面で着しにくいものもあり、手掛けられていない「空白の治療領域」が多く存在しています。

当社は、この「空白の治療領域」をビジネスチャンスと捉え、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、がん・血液・ペインマネジメント領域を対象とする医薬品及び新薬候補品を導入し、これらの開発・販売を行うことにより収益機会を獲得することを事業展開の基本としています。

当社の事業モデルの最大の特徴は、研究・製造機能を保有せず、主にヒトで有効性や安全性が既に確認された新規開発候補品に対して厳密な評価を行った上で、欧米の製薬企業、バイオベンチャー企業等から導入している点にあります。研究施設や製造設備を構築するための巨額の投資を回避することで、固定費を抑えた効率の良い事業運営の実現を目指しています。また、主にヒトで有効性・安全性が確認された開発後期段階にある新規開発候補品を導入し開発することで、開発期間を短縮し開発費用・リスクを低減することが可能となります。

これらの取り組みを継続することにより、強固なパイプライン・ポートフォリオの構築を図り、着実に収益化することを目指しています。

当社の中期経営計画の概要は以下の通りです。

- ▶ 主力製品トレアキシ<sup>®</sup>については、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫・マントル細胞リンパ腫の治療薬として既に高い市場浸透率を達成しており、平成28年12月に効能追加承認を取得した未治療（初回治療）の同疾患においても同様に市場浸透を図り第一選択薬のポジションを早期に確立することで製品価値の最大化を実現し、会社の収益基盤を強固なものとする。
- ▶ トレアキシ<sup>®</sup>に次ぐ新医薬品候補として、血液腫瘍の一種である骨髓異形成症候群（MDS）の治療薬であるリゴセルチブ（注射剤及び経口剤）、及び入院期間中の短期術後

急性疼痛管理を適応とした自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501 の臨床試験を進め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。

- 自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501 及びリゴセルチブ(注射剤)の上市、並びに新規開発候補品の導入時期を見据え、自社販売体制の構築を検討する。
- 長期的な成長機会を確保するため、パイプライン・ポートフォリオの充実を図る。このため、新規開発候補品を積極的に探索・評価し、グローバル・ライセンスの獲得や新規候補品保有企業への資本参加等を検討する。
- これらにより、日本を中心としたアジア地域におけるスペシャリティ・ファーマから、経済的・社会的な価値を高めたグローバルにおけるスペシャリティ・ファーマへの発展を目指す。

### (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

#### ○ 抗がん剤 SyB L-0501(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、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、平成 22 年 12 月より、業務提携先のエーザイ株式会社を通じ国内販売を行っております。販売開始以降、トレアキシシ®の売上は堅調に推移しており、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患者における市場浸透率は高水準に達しております。
- 平成 28 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、さらに平成 28 年 12 月には未治療（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しました。
- 今後、売上をさらに伸ばさせるべく、エーザイとトレアキシシ®のマーケティングに関する協働体制を一層強化することで、特に未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おける市場浸透と適正使用を図り、第一選択薬のポジションを確立することでトレアキシシ®の製品価値の最大化を進めてまいります。
- 再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫については、第Ⅱ相臨床試験を終了しており、引き続き適応症追加へ向けた検討を進めていきます。

#### ○ 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、低メチル化剤による治療において効果が得られない(HMA 不応)または治療後に再発した高リスク骨髄異形成症候群(MDS:Myelodysplastic syndromes)患者を対象とした国際共同第Ⅲ相臨床試験（INSPIRE 試験）において、平成 28 年 7 月に国内における最初の患者登録を完了しました。本試験を引き続き着実に実行し、平成 30 年の製造販売承認申請を目指してまいります。
- リゴセルチブ（経口剤）については、国内で実施中の高リスク骨髄異形成症候群患者を対象としたリゴセルチブ経口剤とアザシチジン併用による第Ⅰ相臨床試験を進め、オンコノバ社と協業を図りながら、平成 31 年の国際共同第Ⅲ相臨床試験の参加に向けた検討を進めてまいります。
- また、輸血依存性の低リスク MDS を目標効能とした開発については、オンコノバ社の開発状況を見据えながら検討してまいります。

#### ○ 自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501

- SyB P-1501 については、入院期間中の短期術後急性疼痛管理を適応とした第Ⅲ相臨床試験において、平成 28 年 11 月に最初の患者登録を完了しました。本試験を引き続き着実に実行し、平成 30 年の製造販売承認申請を目指してまいります。

○ 自社販売体制の構築

- 現在トレアキシシ®の国内販売をエーザイに委託しておりますが、自社の利益率向上のために自社販売体制に移行することが重要な経営課題の一つと捉えています。市場ニーズにより迅速かつ的確に応えることにより医療、顧客、患者さんに貢献し、またより専門的な情報提供による製品価値の最大化を図り、経済的・社会的価値を高めたスペシャリティ・ファーマを実現するためにも、自社販売体制を構築することが有益と考えています。
- しかしながら、その構築に係わる費用、及び医薬情報担当者（MR：Medical Representative）等を継続的に雇用する費用等を考慮すると、自社販売体制を構築する時期及び当社に適した効率性の高い体制につき慎重に精査をすることが不可欠です。自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501 及び SyB L-1101（リゴセルチブ注射剤）の開発の進捗や製造販売承認の時期、並びに新規開発候補品の導入時期を睨み、適切なタイミングで自社販売体制の構築に係わる意思決定を行う考えです。

○ 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、常に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、グローバルの権利を取得することを重視し、アジア地域を中心とした展開からグローバル・スペシャリティ・ファーマへの転換を目指してまいります。

## 2. 今期の業績予想及び今後の業績目標

| 決算期               | 売上高    | 営業損失（△） | 経常損失（△） | 当期純損失（△） |
|-------------------|--------|---------|---------|----------|
|                   | 百万円    | 百万円     | 百万円     | 百万円      |
| 平成 28 年 12 月期(実績) | 2,368  | △2,127  | △2,317  | △2,313   |
| 平成 29 年 12 月期(予想) | 2,903  | △3,239  | △3,303  | △3,307   |
| 平成 30 年 12 月期(目標) | 3,926  | △2,309  | △2,373  | △2,377   |
|                   | ～3,401 | ～△2,509 | ～△2,573 | ～△2,577  |
| 平成 31 年 12 月期(目標) | 4,605  | △1,872  | △1,936  | △1,940   |
|                   | ～3,586 | ～△2,261 | ～△2,325 | ～△2,329  |

### 業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

- 売上高については、トレアキシシ®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、想定患者数等から見込まれる市場規模予測、既存療法との競合状況及び

優位性、販売開始後の売上推移の状況等を分析・検討した上で計上しています。また、現在、平成30年の製造販売承認申請を目指し、自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501 の第Ⅲ相臨床試験を現在進めておりますが、臨床開発の進捗を今後見極める必要があるため、本中期経営計画の期間内に製造販売承認を取得し上市した場合の関連する売上は計上しておりません。

- 売上原価については、トレアキシン®に係わるライセンス契約及び供給契約の条項に基づき計上しております。
- 販売費及び一般管理費については、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、「3. その他参考情報 主な開発ポートフォリオの状況と今後の目標」に記載されている想定に基づき計上しております。自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501 及び SyB L-1101（リゴセルチブ注射剤）につきましては、第Ⅲ相臨床試験の進捗を今後見極める必要があり、製造販売承認取得時に発生するマイルストーン支払については計上しておりません。また、既存パイプライン以外の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、その導入費用及び開発に関する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。ただし、トレアキシン®のマーケティング業務に関する費用については、研究開発費と同様エーザイと折半する契約となっていることから、見込額の半分を当社の費用として計上しております。
- なお、再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫の適応追加については、関連する売上及び費用は計上しておりません。
- 人員計画につきましては、平成28年12月末に77人の社員が在籍しており、自己疼痛管理用医薬品 SyB P-1501、SyB L-1101（リゴセルチブ注射剤）及び自 SyB C-1101（リゴセルチブ経口剤）の開発を進めるために必要な最低限の人員配置を計画しております。なお、自社販売体制を構築する場合、医薬情報担当者を中心に平成31年以降に一定数の増員が必要となることが想定されますが、「1. 今後3ヶ年の中期経営計画 (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」に記載の通り今後計画策定に慎重な検討が必要なことから、自社販売体制の構築に係わる人件費は計上しておりません。
- 本中期経営計画期間において、平成28年12月に効能追加の承認取得をした未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫・マントル細胞リンパ腫の市場浸透の達成状況が業績に与える影響が大きく、平成31年の市場浸透率が80%のケースと50%のケースについて、夫々想定売上高を算定し、前者を上限とし、後者を下限として目標数値を開示しております。
- 資金計画につきましては、事業の継続性確保のため、向こう18ヶ月分の事業資金を保有することを基本方針としております。導入済パイプラインの開発を目的とした資金需要が発生し、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、さらに自社販

売体制の構築を目的とした資金需要も想定されます。将来の事業展開に応じて、金融・資本市場からの資金調達や業務提携等を通じた資金導入を機動的に実施できるよう検討してまいります。

- なお、平成 28 年 11 月 11 日開催の臨時株主総会において、当社定款の一部を変更することにつき決裁を得て、発行可能株式総数を 5,600 万株から 1 億 6,700 万株としています。

### 3. その他参考情報

主な開発ポートフォリオの状況と今後の目標

| 開発品目<br>薬効分類                 | 適応症                                   | 第I相臨床試験                                     | 第II相臨床試験 | 第III相臨床試験 | 承認申請 | 承認 |  |
|------------------------------|---------------------------------------|---|----------|-----------|------|----|--|
| トレアキシシ®<br>抗がん剤              | 再発・難治性低悪性度<br>非ホジキンリンパ腫<br>マントル細胞リンパ腫 | 平成 22 年 10 月 承認取得                           |          |           |      |    |  |
|                              | 未治療低悪性度<br>非ホジキンリンパ腫<br>マントル細胞リンパ腫    | 平成 28 年 12 月 承認取得                           |          |           |      |    |  |
|                              | 慢性リンパ性白血病                             | 平成 28 年 8 月 承認取得                            |          |           |      |    |  |
|                              | 再発・難治性<br>中高悪性度<br>非ホジキンリンパ腫          | 第II相臨床試験を終了                                 |          |           |      |    |  |
| リゴセルチブ<br>注射剤<br>抗がん剤        | 再発・難治性<br>高リスク<br>骨髄異形成症候群            | [Progress bar: Grey, Green, Orange, Yellow] |          |           |      |    |  |
| リゴセルチブ<br>経口剤<br>抗がん剤        | 高リスク<br>骨髄異形成症候群<br>(アザシチジン併用)        | [Progress bar: Grey, Green, Orange, Yellow] |          |           |      |    |  |
|                              | 輸血依存性<br>低リスク<br>骨髄異形成症候群             | オンコノバ社の開発状況を見据えて検討                          |          |           |      |    |  |
| SyB P-1501<br>自己疼痛管理用<br>医薬品 | 入院期間中の短期術<br>後急性疼痛管理                  | [Progress bar: Grey, Green, Orange, Yellow] |          |           |      |    |  |

注) 1. [Grey] は開発計画を表しており、 [Green] は平成 28 年 12 月期末までに実施済、  
 [Orange] は平成 29 年 12 月期、 [Yellow] は平成 30 年 12 月期、  
 [Yellow] は平成 31 年 12 月期における開発計画の到達目標を表しております。



以下に、主なポートフォリオの概要と計画達成のための要点を記載いたします。

○ 抗がん剤 SyB L-0501 (一般名：ベンダムスチン塩酸塩、製品名：トレアキシシ®)

**概要：**

- SyB L-0501 は殺細胞性の抗腫瘍薬であり、1970年代からドイツで使用が開始され、低悪性度非ホジキンリンパ腫、マントル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病などを適応として現在世界 88ヶ国で承認・販売されています。
- 当社は、平成 17 年 12 月に本剤のライセンスの供給元である **Astellas Deutschland GmbH** (アステラス製薬株式会社のドイツ子会社) より、日本、中国 (香港を含む)、韓国、台湾、及びシンガポールにおける独占的開発権及び販売権を取得し、中国を除く地域で既に承認を取得しております。
- SyB L-0501 の日本における承認取得及び販売の経緯は以下の通りで、発売開始来、平成 28 年度末までに約 18,000 名 (当社推計) の患者さんの治療に投与されています。
  - 平成 22 年 10 月：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製造販売承認を取得
  - 平成 22 年 12 月：業務提携先であるエーザイ株式会社を通じて販売開始
  - 平成 28 年 8 月：慢性リンパ性白血病に対する効能追加の承認取得
  - 平成 28 年 9 月：トレアキシシ®点滴静注用 25 mg の製造販売の承認取得
  - 平成 28 年 12 月：未治療 (初回治療) 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に対する効能追加の承認取得
  - 平成 29 年 1 月：トレアキシシ®点滴静注用 25 mg の販売開始

**課題と具体的施策：**

- 当社は、未だ満たされない医療ニーズに応えるべく、新たな治療選択肢として本剤の適正使用を推進しトレアキシシの製品価値の最大化を図るべく、製品売上の最大化及び適応拡大の更なる促進に取り組んでまいります。
- 売上の最大化：  
本剤は、主力マーケットである日本においては、業務提携先であるエーザイを通じて販売しております。市場浸透を図るためには、既に臨床試験で実証されている効果及び安全性を広く周知し、実際の処方につなげる必要があります。そのために、販売を担当するエーザイと緊密に連携し、競合する治療方法への対抗戦略、学会活動の協働や研究会の企画等の戦略的なマーケティング活動の展開が不可欠です。今後、売上をさらに伸ばさせるべく、エーザイとの協働体制を一層強化することで、特に未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おける市場浸透と適正使用を図り、第一選択薬のポジションを確立することでトレアキシシ®の製品価値の最大化を進めてまいります。
- 適応拡大の更なる促進：  
再発・難治性の中高悪性度非ホジキンリンパ腫の追加適応については、第Ⅱ相臨床試験は良好な結果で終了しており、承認取得に向けて引き続き最善の努力を続けてまいります。なお、当該適応に関連する売上及び費用は中期経営計画には計上しておりません。

○ 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)

**概要：**

- リゴセルチブは、ユニークなマルチキナーゼ阻害作用（がん細胞の増殖、浸潤及び転移に関与する複数のキナーゼを阻害することによりがん細胞を死に至らしめる作用）を有する抗がん剤です。当社は、平成 23 年 7 月にオンコノバ社（本社：米国ペンシルベニア州）より本剤（注射剤及び経口剤）の日本及び韓国における独占的開発権及び販売権の供与を受けて、臨床開発を進めています。
- リゴセルチブ（注射剤）については、本剤の導入元であるオンコノバ社が実施している国際共同第Ⅲ相臨床試験（INSPIRE 試験）の日本における臨床開発を当社が担当しており、国内では平成 27 年 12 月に試験が開始されています。本国際共同第Ⅲ相臨床試験は、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（HMA 不応）又は治療後に再発した高リスク骨髄異形成症候群（MDS）患者を対象とし、全世界から 10 ヶ国以上が参加しています。当社は、国内において平成 28 年 7 月に最初の患者登録が完了し、現在症例登録を進めています。
- リゴセルチブ（経口剤）については、高リスク骨髄異形成症候群患者を対象としたリゴセルチブ経口剤とアザシチジン併用による国際共同第Ⅲ相臨床試験計画の確定に向けた検討がオンコノバ社により進められています。一方、国内におきましては、高リスク MDS を目標効能とした国内第Ⅰ相臨床試験を平成 27 年 12 月に開始しておりますが、オンコノバ社からの本試験の治験薬の供給に遅延が生じており、現時点では症例登録が中断しております。
- なお、経口剤による輸血依存性の低リスク MDS を目標効能とした国内第Ⅰ相臨床試験は既に終了しています。

**課題と具体的施策：**

- トレアキシン®に次ぐ新医薬品候補として、リゴセルチブ（注射剤及び経口剤）の臨床試験を進め製造販売承認取得を目指すことで、企業成長力を高め将来の収益機会の拡充を図ります。
- 製造販売承認申請に向けた複数の臨床試験を推進  
リゴセルチブ（注射剤）については、INSPIRE 試験を早期に終了させ、平成 30 年の製造販売承認申請を目指してまいります。また、リゴセルチブ（経口剤）については、治験薬の供給問題が解消され次第、国内第Ⅰ相臨床試験における症例登録を再開し、国内での第Ⅰ相臨床試験終了後に、平成 31 年に国際共同第Ⅲ相臨床試験への参加を検討する予定です。なお、経口剤による輸血依存性の低リスク MDS を目標効能とした今後の臨床開発計画につきましては、オンコノバ社の開発状況を見据えて検討してまいります。

○ SyB P-1501(自己疼痛管理用医薬品)

**概要：**

- SyB P-1501 は、患者さんが手術後に生じる痛みを自己管理するための医薬品です。当社は、平成 27 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）より、日本における独占的開発権及び販売権を取得しております。
- 本製品は、患者さん自身が腕や胸部に貼付されたカード大の製品上にあるボタンを押すことにより、イオン化された一定量の鎮痛薬が経皮的に移行し鎮痛効果が得られ、針を

使用しない非侵襲性の自己調節鎮痛（Patient Controlled Analgesia/PCA）法として使われる、患者さんにとって利便性の高い自己疼痛管理用医薬品です。

- また、医療機関にとっても、現在標準的に使われている電動ポンプを使用した PCA 法と比較して、維持管理が非常に容易で医療従事者の作業負荷を減らし、コスト削減が期待できる利点の大きい革新的な自己疼痛管理用医薬品です。
- 本製品は、既に米国及び欧州において製造販売承認を取得し（米国：平成 27 年 4 月、欧州：平成 27 年 11 月）、販売が開始されています。国内においては日本人の健康成人を対象とした第 I 相臨床試験が終了しており、入院期間中の短期術後急性疼痛管理を適応とした国内第 III 相臨床試験を平成 28 年 6 月に開始し、同年 11 月には最初の患者登録を完了しています。
- 製造販売承認取得後の発売時には、IV-PCA（経静脈的自己調節鎮痛法）の置換市場を主たるターゲットとし、中長期的には硬膜外 PCA 市場や PCA を用いない術後疼痛管理市場全般への浸透を図り、収益機会を拡充させていく考えです。

#### 課題と具体的施策：

- リゴセルチブ（注射剤及び経口剤）と同様に、トレアキシシ®に次ぐ新医薬品候補として、SyB P-1501 の臨床試験を進め製造販売承認取得を目指すことで、企業成長力を高め将来の収益機会の拡充を図ります。
- 早期の製造販売承認申請：  
既に第 I 相臨床試験が終了しており、また既に欧米において承認取得がされておりその臨床試験データを活用出来ることから、国内において第 III 相臨床試験のみで製造販売承認申請を行う計画です。現在進行中の国内第 III 相臨床試験を早期に終了させ、平成 30 年の製造販売承認申請を目指してまいります。

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。