

4582

シンバイオ製薬

当レポートは、掲載企業のご依頼により株式会社シェアードリサーチが作成したものです。投資家用の各企業の『取扱説明書』を提供することを目的としています。正確で客観性・中立性を重視した分析を行うべく、弊社ではあらゆる努力を尽くしています。中立的でない見解の場合は、その見解の出所を常に明示します。例えば、経営側により示された見解は常に企業の見解として、弊社による見解は弊社見解として提示されます。弊社の目的は情報を提供することであり、何かについて説得したり影響を与えたりする意図は持ち合わせておりません。ご意見等がございましたら、sr_inquiries@sharedresearch.jp までメールをお寄せください。



目次

要約	3
主要経営指標の推移	5
直近更新内容	6
業績動向	8
四半期実績推移	8
今期会社予想	14
中長期見通し	15
事業内容	19
事業概要	19
事業戦略	21
パイプライン	24
収益構造	34
SW (Strengths, Weaknesses) 分析	35
マーケット概略	36
過去の業績	38
損益計算書	58
貸借対照表	59
キャッシュフロー計算書	60
その他の情報	61
ニュース&トピックス	66
企業概要	70

要約

欧米バイオベンチャー企業等から、新薬候補品の開発権、販売権を取得し、製品化

同社は、主に欧米バイオベンチャー企業等から、医療ニーズが高く、POC（Proof of Concept）が確立されたがん・血液・マルチウイルス感染症を中心とする希少疾患領域を対象とする新薬候補品の開発権、販売権を取得し、臨床試験を実施、製造販売承認取得により、製品販売による収益獲得を図る。

基礎研究を行わず、既にヒトで基礎研究が行われ、POCが確立された新薬候補品を開発対象とする。新薬候補品は独自の情報収集による社内の専門家による探索・評価、絞り込みに加え、年に3回開催される科学的諮問委員会（SAB）による評価を経ることで、承認取得確率の高い開発候補品を選別する。また、ラボレス戦略による費用効率化、「空白の治療領域」への特化による高収益化、グローバル展開戦略による収益獲得機会拡大を図っている。

通常、医薬品の開発は基礎研究から製造販売承認取得まで10～17年間の期間を要するが、同社は、第1号開発品のトレアキシン®に関して、導入から5年で国内製造販売承認を取得し、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した。

同社は抗がん剤トレアキシン®について、再発・難治性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）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、慢性リンパ性白血病、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応症について、承認を取得、販売している。トレアキシン®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2018年版において、再発難治性低悪性度B細胞性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の標準的治療の選択肢として記載されている。また、未治療低悪性度非ホジキンリンパ腫においても治療選択肢として記載されている。

2020年9月に日本においてトレアキシン®RTD製剤の製造販売承認を取得し、2021年1月に販売を開始した。トレアキシン®RTD製剤はトレアキシン®凍結乾燥剤と比較し、手動による煩雑な溶解作業とそのためにかかる時間が不要で、患者と医療関係者の負担を低減することができる。また、2022年2月にはトレアキシン®RI投与の承認を取得した。RI投与では点滴時間が凍結乾燥注射剤またはRTD製剤の60分間と比較して、10分間に短縮され、患者および医療従事者の負担軽減につながる。

トレアキシン®凍結乾燥注射剤は2020年に再審査期間が終了したが、同社が独占的販売権を有するトレアキシン®RTD製剤およびRI投与の上市と切り替えによって、製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能との見解だった。しかし2022年にトレアキシン®の後発品が、同社の特許侵害の警告に対抗した2社より発売されたことにより状況が大きく変化した。同案件に関する特許権侵害訴訟は、2社との和解が成立した。

開発中のパイプラインは、抗ウイルス薬プリンシドフォビル（BCV）である。同社は、予定していたトレアキシン®の開発はすべて終了したため、多様な疾患の治療薬として可能性があるBCVに開発資源を移行している。このうち、アデノウイルス（AdV）感染症を対象とした第II相臨床試験では、2023年5月にヒトPOC（Proof of Concept）の確立に成功した。2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年8月、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第Ib相臨床試験を開始した。同試験は、BCVのがん領域で最初となる臨床試験である。

業績動向

2024年12月期通期実績は、売上高2,453百万円（前期比56.1%減）、営業損失3,877百万円（前期は812百万円の営業損失）、経常損失3,689百万円（前期は736百万円の経常損失）、親会社株主に帰属する当期純損失3,833百万円（前期は1,963百万円の当期純損失）となった。トレアキシン®の後発医薬品販売の影響が顕在化する中で、コロナやインフルエンザ等の感染症流行の影響が抗がん剤治療の現場では継続し、後発医薬品を含む同剤全体の使用が減少した。

2025年12月期通期会社予想は、売上高1,858百万円（前期比24.3%減）、営業損失4,263百万円（前期は3,877百万円の損失）、経常損失4,347百万円（同3,689百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純損失4,468百万円（同3,833百万円の損失）を見込む。後発医薬品販売の影響などにより売上高が減少する中で、抗ウイルス薬BCVのグローバル開発を推進するために研究開発費が増加する見通しである。

同社は2020年2月公表時の中期経営計画においては、2023年12月期は売上高12,369百万円を計画していた。しかし2022年にトレアキシン®の後発品が、同社の特許侵害の警告に対抗した2社より発売されたことにより、計画は実現しなかった。2025年2月時点では、新しい中期経営計画は発表されていない。

同社の強みと弱み

SR社では、同社の強みを、承認取得確率の高い候補品を探索・評価・導入する力、短期間で製品化（上市）する開発力、「空白の治療領域」におけるシェアの獲得力の3点だと考えている。一方、同社の弱みは、特定人物への依存度、特定製品への依存だと考えている。（「SW（Strengths, Weaknesses）分析」の項参照）

主要経営指標の推移

(百万円)	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期	25年12月期
	単独	単独	単独	単独	単独	単独	単独	連結	連結	連結	連結会予
売上高	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987	8,257	10,008	5,590	2,453	1,858
前年比	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%	176.4%	21.2%	-44.1%	-56.1%	-24.3%
売上総利益	583	904	1,031	1,173	865	867	5,800	7,600	4,411	1,873	1,357
前年比	10.7%	55.1%	14.1%	13.7%	-26.3%	0.2%	569.1%	31.0%	-42.0%	-57.5%	-27.6%
売上総利益率	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%	30.5%	29.0%	70.2%	75.9%	78.9%	76.4%	73.0%
営業利益	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506	1,016	1,964	-812	-3,877	-4,263
前年比	-	-	-	-	-	-	-	93.3%	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	12.3%	19.6%	-	-	-
経常利益	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616	1,001	2,000	-736	-3,689	-4,347
前年比	-	-	-	-	-	-	-	99.8%	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	12.1%	20.0%	-	-	-
当期純利益	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090	2,032	1,179	-1,963	-3,833	-4,468
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-42.0%	-	-	-
純利益率	-	-	-	-	-	-	24.6%	11.8%	-	-	-
一株当たりデータ (円、株式分割調整後)											
期末発行済株式数 (千株)	32,391	46,531	54,049	20,560	26,438	38,203	38,457	39,604	42,278	45,929	-
EPS (円)	-325.0	-235.3	-319.1	-165.5	-189.0	-124.1	53.0	30.2	-49.2	-85.0	-80.5
EPS (潜在株式調整後)	-	-	-	-	-	-	52.3	29.8	-	-	-
DPS (円)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
BPS (円)	510.2	434.4	200.0	212.2	143.1	105.8	162.3	204.8	164.3	84.7	-
貸借対照表 (百万円)											
現金・預金・有価証券	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849	3,860	6,283	6,517	3,964	-
流動資産合計	4,827	6,685	4,037	6,038	4,887	5,815	6,748	9,313	8,083	4,924	-
有形固定資産	53	75	47	57	75	77	84	69	-	-	-
投資その他の資産計	53	77	100	73	70	81	1,362	829	88	44	-
無形固定資産	52	42	69	71	241	302	259	222	-	-	-
資産合計	4,984	6,878	4,252	6,239	5,274	6,275	8,453	10,433	8,170	4,968	-
買掛金	320	322	604	726	121	665	70	47	-	-	-
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
流動負債合計	551	942	1,011	1,336	872	1,615	1,518	1,924	957	766	-
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
固定負債合計	2	451	1	1	2	2	189	3	4	5	-
負債合計	552	1,394	1,013	1,338	874	1,617	1,707	1,927	960	771	-
純資産合計	4,432	5,485	3,239	4,902	4,400	4,657	6,746	8,506	7,210	4,198	-
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
キャッシュフロー計算書 (百万円)											
営業活動によるキャッシュフロー	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325	-4,351	-4,122	140	1,614	-195	-3,417	-
投資活動によるキャッシュフロー	1,489	-44	-78	-26	-216	-160	-71	-47	-377	-4	-
財務活動によるキャッシュフロー	-3	3,658	1,164	4,272	3,740	4,222	-72	628	680	708	-
財務指標											
総資産利益率 (ROA)	-42.3%	-39.1%	-71.5%	-52.4%	-76.0%	-79.9%	13.6%	21.2%	-7.9%	-56.2%	-
自己資本純利益率 (ROE)	-48.3%	-50.4%	-102.6%	-77.8%	-107.4%	-104.7%	39.6%	16.5%	-26.1%	-70.9%	-
純資産比率	88.9%	79.7%	76.2%	78.6%	83.4%	74.2%	79.8%	81.5%	88.2%	84.5%	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

*同社は、2019年7月付で普通株式4株につき1株の割合で株式併合を行った。2019年12月期の業績予想における1株当たり当期純利益については、当該株式併合の影響を考慮している。

*Symbio Pharma USA, Inc.が稼働を開始したことに伴い、2022年12月期から連結決算へ移行した。2022年12月期実績は連結での数値であり、前年比は参考値であることに留意。

直近更新内容

悪性リンパ腫患者を対象にBCVの国際共同第 I b/ II 相臨床試験がシンガポールでも開始

2025年2月6日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのがん領域における臨床試験のシンガポールにおける開始について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第 I b/ II 相臨床試験をシンガポールにおいても開始する。同臨床試験は、2024年8月から日本において開始されており、シンガポールにも同臨床試験の実施が拡大される。

米国子会社SPUのCEO兼社長を選任

2024年12月27日

シンバイオ製薬株式会社は、米国子会社SPUのCEO兼社長の選任について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、2025年1月付けで米国子会社SPUのCEO兼社長として、田口賢氏を選任した。同氏は、大塚製薬株式会社、株式会社フィリップス・ジャパンなどで、海外子会社立ち上げやグローバル事業展開を推進した経歴を持つ。

新株予約権付社債発行プログラム設定契約の締結および第三者割当による第4回無担保転換社債型新株予約権付社債の発行について発表

2024年12月25日

シンバイオ製薬株式会社は、新株予約権付社債発行プログラム設定契約の締結および第三者割当による第4回無担保転換社債型新株予約権付社債の発行について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、Cantor Fitzgerald Europeとの間で、新株予約権付社債発行プログラムの設定に係る契約を締結し、第三者割当による第4回無担保転換社債型新株予約権付社債を発行することを決議した。

同プログラムでは、第4回割当から第7回割当まで計4回の割当を行う。同プログラムにより新たに発行される新株予約権付社債の払込金額総額は最大2,400百万円である。当該新株予約権付社債が全て転換した場合に交付される株式数は最大11,300千株（議決権数113,000個）であり、2024年9月末の発行済株式総数45,916千株（議決権数454,609個）に対して最大24.61%（議決権24.86%）の希薄化が生じる見込みである。

調達資金の額

- 同プログラムによる払込金額の総額：2,400百万円
- 発行諸費用の概算額：100百万円
- 差引手取概算額：2,300百万円

調達する資金の具体的な用途

同株式の発行により調達する資金（2,300百万円）の具体的な用途および支出予定時期は以下のとおりである。

- ▶ 抗ウイルス薬BCVの開発資金（直接経費）：1,300百万円（2025年1月から2025年10月に支出予定）
- ▶ 抗ウイルス薬BCVの開発資金（間接経費）：1,000百万円（2025年1月から2025年10月に支出予定）

募集の概要

第4回から第7回までの新株予約権付社債の発行の概要

払込期日	2024年12月25日、2025年1月20日、2025年2月21日、2025年3月26日（計4回）
社債及び新株予約権の発行価額	総額2,400百万円（最大）
募集方法	第三者割当の方法による
割当予定先	Cantor Fitzgerald Europe

出所：会社リリースよりSR社作成

BCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の可能性について米国学会で発表

2024年12月13日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の可能性について米国学会で発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、第66回米国血液学会総会において、BCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の可能性に関する研究成果を発表した。同研究成果は、シンガポール国立がんセンターとの共同研究によるものであり、上記2つの薬剤の併用により、腫瘍に浸潤する免疫細胞が顕著に増加することである。

業績動向

四半期実績推移

四半期業績推移 (累計) (百万円)	23年12月期				24年12月期				24年12月期	
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	(進捗率)	通期会予
売上高	1,545	3,179	4,421	5,590	598	1,284	1,898	2,453	93.5%	2,623
前年比	-33.3%	-34.8%	-39.9%	-44.1%	-61.3%	-59.6%	-57.1%	-56.1%	-	-53.1%
売上総利益	1,243	2,473	3,476	4,411	471	996	1,444	1,873	-	-
前年比	-34.5%	-38.3%	-36.4%	-42.0%	-62.1%	-59.7%	-58.5%	-57.5%	-	-
売上総利益率	80.5%	77.8%	78.6%	78.9%	78.8%	77.6%	76.1%	76.4%	-	-
販管費	1,192	2,523	3,759	5,223	1,278	2,716	4,235	5,750	-	-
前年比	-14.2%	-4.4%	-3.1%	-7.3%	7.2%	7.6%	12.7%	10.1%	-	-
売上高販管費比率	77.2%	79.4%	85.0%	93.4%	213.7%	211.4%	223.1%	234.4%	-	-
営業利益	51	-50	-283	-812	-807	-1,719	-2,791	-3,877	-	-3,702
前年比	-89.9%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	3.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益	48	67	-156	-736	-727	-1,481	-2,760	-3,689	-	-3,524
前年比	-89.9%	-95.4%	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	3.1%	2.1%	-	-	-	-	-	-	-	-
四半期純利益	4	-80	-789	-1,963	-777	-1,541	-2,845	-3,833	-	-3,628
前年比	-97.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
四半期純利益率	0.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
四半期業績推移 (累計) (百万円)	23年12月期				24年12月期					
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q		
売上高	1,545	1,634	1,242	1,169	598	687	614	555	-	-
前年比	-33.3%	-36.1%	-49.9%	-55.9%	-61.3%	-58.0%	-50.6%	-52.5%	-	-
売上総利益	1,243	1,230	1,003	935	471	525	448	429	-	-
前年比	-34.5%	-41.8%	-31.1%	-56.2%	-62.1%	-57.3%	-55.3%	-54.1%	-	-
売上総利益率	80.5%	75.3%	80.7%	80.0%	78.8%	76.5%	73.0%	77.3%	-	-
販管費	1,192	1,331	1,237	1,463	1,278	1,438	1,520	1,515	-	-
前年比	-14.2%	6.5%	-0.3%	-16.8%	7.2%	8.0%	22.9%	3.5%	-	-
売上高販管費比率	77.2%	81.5%	99.5%	125.2%	213.7%	209.4%	247.5%	273.2%	-	-
営業利益	51	-101	-233	-528	-807	-913	-1,072	-1,086	-	-
前年比	-89.9%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	3.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益	48	19	-223	-580	-727	-754	-1,278	-930	-	-
前年比	-89.9%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	3.1%	1.1%	-	-	-	-	-	-	-	-
四半期純利益	4	-84	-709	-1,174	-777	-764	-1,304	-988	-	-
前年比	-97.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-
四半期純利益率	0.3%	-	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

*前年同期比が1,000%を超える場合は、“-”と表示している。

*Symbio Pharma USA, Inc.が稼働を開始したことに伴い、2022年12月期から連結決算へ移行した。2022年12月期実績は連結での数値であり、前年比は参考値であることに留意。

販売費及び一般管理費の内訳

四半期業績推移 (累計) (百万円)	23年12月期				24年12月期					
	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q	1Q	1-2Q	1-3Q	1-4Q		
販売費及び一般管理費	1,192	2,523	3,759	5,223	1,278	2,716	4,235	5,750	-	-
前年比	-14.2%	-4.4%	-3.1%	-7.3%	7.2%	7.6%	12.7%	10.1%	-	-
研究開発費	550	1,204	1,824	2,638	691	1,532	2,493	3,379	-	-
前年比	10.8%	19.3%	16.6%	3.3%	25.7%	27.2%	36.7%	28.1%	-	-
研究開発費を除く販管費	642	1,319	1,936	2,584	586	1,184	1,742	2,371	-	-
前年比	-28.1%	-19.0%	-16.4%	-16.1%	-8.7%	-10.2%	-10.0%	-8.3%	-	-
四半期業績推移 (累計) (百万円)	23年12月期				24年12月期					
	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q		
販売費及び一般管理費	1,192	1,331	1,237	1,463	1,278	1,438	1,520	1,515	-	-
前年比	-14.2%	6.5%	-0.3%	-16.8%	7.2%	8.0%	22.9%	3.5%	-	-
研究開発費	550	654	620	815	691	840	961	887	-	-
前年比	10.8%	27.4%	11.8%	-17.8%	25.7%	28.5%	55.1%	8.9%	-	-
研究開発費を除く販管費	642	677	617	649	586	598	559	628	-	-
前年比	-28.1%	-8.0%	-10.0%	-15.5%	-8.7%	-11.7%	-9.4%	-3.2%	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2024年12月期通期実績 (2025年2月6日発表)

- 売上高：2,453百万円（前年同期比56.1%減）
- 営業損失：3,877百万円（前年同期は812百万円の損失）
- 経常損失：3,689百万円（同736百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：3,833百万円（同1,963百万円の損失）

2021年1月に販売を開始したトレアキシン®点滴静注液剤100mg/4mL [RTD (Ready-To-Dilute) 製剤] の投与時間を10分間に短縮することを可能とする迅速静注投与 [RI (Rapid Infusion) 投与] について、2022年2月に一変承認を取得し

た。RTD製剤は従来の凍結乾燥製剤（FD製剤）と比較し、手動による煩雑な溶解作業に要する時間を短縮することができる。

- ▶ 2025年2月時点では、同社とファイザー株式会社および東和薬品株式会社との特許権侵害訴訟に関して和解が成立したが、その後も3社が後発品の販売を継続している

売上高は2,453百万円（前年同期比56.1%減）となった。後発品の浸食は少しずつ進行し、影響を受けた。血液腫瘍患者、特に悪性リンパ腫患者への感染リスクの増大と、ベンダムスチン治療中もしくは治療後に感染の遷延や重症化を引き起こす可能性が懸念され、後発医薬品を含むベンダムスチンの処方低下していた。コロナやインフルエンザ等感染症の流行により、2024年12月期の後半は、特に処方低下の影響が大きくなった。

- ▶ 同社の推計では、トレアキシン®RTD製剤は約70%が後発品により市場が浸食されたとのことである。
- ▶ トレアキシン®RTD製剤は、2024年4月の薬価改定において新薬創出加算の対象から外れたため、18.6%の大幅な薬価引き下げを受けた。2025年4月の薬価中間年改定においては、特例的な薬価引き下げはないため、通常時の薬価改定率に留まる模様である。

利益面では、売上総利益は1,873百万円（同57.5%減）、売上総利益率は76.4%（同2.5%ポイント低下）となった。販費及び一般管理費は5,750百万円（同10.1%増）（うち研究開発費は3,379百万円（同28.1%増））となった。これらの結果、営業損失は3,877百万円（前年同期は812百万円の営業損失）となった。

2024年12月期通期会社予想に対する達成率

同社は、2024年5月に2024年12月期通期会社予想の減額修正を発表済みである（詳細は後述の「今期会社予想」を参照）。修正後の通期会社予想（2024年5月修正）に対する当通期実績の達成率は、売上高が93.5%であり、利益項目はマイナスのため進捗率はない。営業損失は3,877百万円（通期予想は3,702百万円の損失）、経常損失3,689百万円（通期予想は3,524百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失3,833百万円（通期予想は3,628百万円の損失）である。

当第4四半期には、コロナやインフルエンザ等感染症の流行によるマイナス影響があったものの、それ以外は修正後の会社予想に対してほぼ計画通りに進んだと同社では考えている。

事業の進捗概況

2025年2月時点までの、主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▶ 2025年2月、同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第Ⅰb/Ⅱ相臨床試験をシンガポールにおいても開始した。
- ▶ 2025年1月、同社は、米国子会社SPUのCEO兼社長として、田口賢氏を選任した。
- ▶ 2024年12月、同社は、Cantor Fitzgerald Europeとの間で、新株予約権付社債発行プログラムの設定に係る契約を締結し、第三者割当による第4回無担保転換社債型新株予約権付社債を発行することを決議した。
- ▶ 2024年12月、同社は、第66回米国血液学会総会において、BCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の可能性に関する研究成果を発表した。
- ▶ 2024年11月、同社は新しい副社長執行役員兼グローバルCMOを選任し、同副社長が米国子会社SPUのSenior Vice President（上席副社長）も兼任した。
- ▶ 2024年10月、ID Week 2024（米国感染症学会週間）において、BCVのアデノウイルス（AdV）感染症第Ⅱa相臨床試験の詳細データのうち、血中AdVの消失と臨床症状改善との関連性が、追加で報告された。
- ▶ 2024年9月、同社と東和薬品株式会社との特許権侵害訴訟に関して和解が成立した（詳細は後述のトピックスを参照）。
- ▶ 2024年8月、同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第Ⅰb/Ⅱ相臨床試験を開始した（日本）。

- ▶ 2024年7月、同社は、BCVがポリオーマウイルスの感染性ウイルス産生を抑制したと発表した。米国ペンシルベニア州立大学医学部が、ポリオーマウイルス感染マウスモデルを用いて検証し、同研究成果を論文発表した。
- ▶ 2024年6月、BCVの末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する抗腫瘍効果がマウスモデルで確認され、第29回欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）においてその研究成果が発表された。
- ▶ 2024年6月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験において、第1例目の患者登録が完了した（FPI）。
- ▶ 2024年5月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験が開始された。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。
- ▶ 2024年4月、リゴセルチブのライセンサー（導入元）であるオンコノバ社は、経営統合により新会社Traws Pharma, Inc.を設立した。
- ▶ 2024年4月、米国子会社（SPU）のCEO兼社長が、Stephane Berthier（ステファン・ベルティエ）氏から、John Houghton（ジョン・ホートン）氏に交代した。
- ▶ 2024年4月、同社とシンガポール国立がんセンター（NCCS）との共同研究の成果として、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）において、B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が発表された。
- ▶ 2024年3月、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を取得した。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、欧州血液骨髄移植学会年次総会でOral Sessionに選出された。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、2024 Tandem MeetingsにおけるPediatric Best Abstractsセッションの演題（小児医療での優良演題）に選ばれた。便中のAdVに対する抗ウイルス効果に関するデータが追加発表された。
- ▶ 2024年1月、BCV注射剤のアデノウイルス（AdV）感染症に対する用途特許を日本で取得した。

研究開発活動

2024年12月期における主な進捗は、2024年8月、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第I b相臨床試験を開始したことである。同試験は、BCVのがん領域で最初となる臨床試験である（移植後感染症領域では、2021年8月には臨床試験の第1例目に投与した）。

抗ウイルス薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（プリンシドフォビル）、BCV）

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、BCV IVおよびBCV Oral）の事業展開については、dsDNAウイルスに対するその広範な活性を有することから、国内および海外の専門領域の有力な研究施設と共同研究を進めている。同社は研究成果である科学的知見をもとに、グローバルでの臨床試験を検討、実施していく。

キメリックス・インク社（米国、以下、キメリックス社）による欧米における臨床試験において、すでにBCV Oralが各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性を有することが示されている。BCV IVにおいては造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を始めとする多くのdsDNAウイルスによる感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待されている。キメリックス社は、BCV Oralについて、2021年6月に天然痘対策として米国食品医薬品局（FDA）から承認を取得した。

移植後感染症領域

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症）

BCV IV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播種性アデノウイルス（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同社は決定した。2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にIND（治験許可申請）を行った。この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（Fast track）指定を受けており、2021年8月には第1例目の投与を開始した。2023年5月、同試験において、BCVがヒトPOCを確立した。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会において、当試験の有効性を示すポジ

タイプ・データが口頭発表された。2024年2月の米国 2024 Tandem Meetingsや2024年4月の第50回欧州血液骨髄移植学会年次総会（50th Annual Meeting of the EBMT）、米国感染症学会週間（IDWeek2024）等の主要学会において口頭発表された。2024年1月、アデノウイルス感染および感染症の治療に関するBCVの用途特許が日本で成立し登録された。

- ✓ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた
- ✓ コホート1~3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス（CMV）感染症）

2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年6月、第1例目の登録が行われ同試験が進行中である。

- ▶ サイトメガロウイルス（CMV）感染症はアデノウイルス（AdV）感染症に比較して患者数が多いため、患者登録は順調に推移しているとのことである。
- ▶ 武田薬品工業の競合薬マリバビル（製品名：LIVTENCITY）の2024年3月期における売上高は、19,100百万円だった。移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業が競合薬マリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくという。

BCVの臨床開発（腎移植後のBKウイルス感染症）

腎移植後のBKウイルス感染症の開発は、現在プロトコルの修正の検討を行っている。2022年8月、オーストラリアで国際共同第II相臨床試験の第1例目の投与（FPD）を開始したが、症例集積が遅れていた。

BCVの非臨床試験（ポリオーマウイルス感染症）

ポリオーマウイルス、特にJCウイルス（JCV）は、dsDNAウイルスの中でも脳に重篤な疾患を引き起こすことが知られており、有効な治療薬の開発が待たれている。2022年11月、同社は米国ペンシルバニア州立大学医学部との間で試料提供契約（MTA：Material Transfer Agreement）を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証する非臨床試験を開始した。2024年7月、同研究成果の第一報として、新たな知見がmBio誌に公表された。

血液腫瘍領域

血液腫瘍領域

BCVの非臨床共同研究（血液腫瘍・がん領域への応用）

プリンシドフォピルは抗ウイルス作用に加え、同社は抗腫瘍効果も期待している。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、EBウイルス陽性リンパ腫、難治性脳腫瘍等、がん領域における新規適応症の探索を行うとしている。2022年3月には米国ブラウン大学との共同研究において、サイトメガロウイルス（CMV）感染症の膠芽腫（GBM）に対する抗腫瘍効果を検討する共同研究を開始した。

2022年12月、進行の早いNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの治療効果に関するNCCSとの共同研究成果について、第64回米国血液学会年次総会（The 64th American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting）において口頭発表に採択され、発表された。

- ▶ BCVは副作用としての骨髄抑制を示さないため、同社では「がん細胞を選択的に死滅させ、正常細胞には影響を与えない、選択的効果」を期待している。

2023年6月、第17回国際悪性リンパ腫会議（17th International Conference on Malignant Lymphoma: ICML）でBCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカー*に関する研究成果が発表された。2024年4月、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）でB細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。2024年6月、欧州血液学会

(EHA2024 Hybrid Congress) において、抹消性T細胞リンパ腫 (PTCL) に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。

*有効性が高い患者 (レスポンド) を予測して選択できるため、通常は治験成功 (POC) の確率が上昇しやすい。

BCVの臨床開発 (血液腫瘍・がん領域への応用)

2024年8月、がん領域におけるBCVのFIH (First in Human) 試験として、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第1b相臨床試験を開始した。同試験はBCVのがん領域におけるヒトPOCを確立することを目的としている。

- ▶ 同試験は、アデノウイルス (AdV) 感染症、サイトメガロウイルス (CMV) 感染症に次いで、BCVの3番目となる臨床試験であり、がん領域としてはBCV最初の臨床試験である。
- ▶ 2025年2月、同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者 (NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫) を対象としたBCVの国際共同第1b/II相臨床試験をシンガポールにおいても開始した。

その他の領域

BCVの非臨床試験 (EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患)

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所 (National Institute of Health : NIH) に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所 (National Institute of Neurological Disorders and Stroke : NINDS) との間で、共同研究試料提供契約 (Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials) を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約 (CRADA : Cooperative Research and Development Agreement) を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会 (9th Joint ECTRIMS-ACTRIMS Meeting) において発表された。

CRADA : 米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという (同社は日本企業としては2社目)。

2023年4月には、米国国立衛生研究所に所属する国立アレルギー・感染症研究所 (NIAID : National Institute of Allergy and Infectious Diseases) との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約 (CRADA) を締結した。

*T細胞リンパ腫、バーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。(出所 : 同社第18期定時株主総会資料)

BCVの非臨床共同研究 (単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症)

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス (HSV) が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約 (Sponsored Research Agreement) を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマー型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

権利関係

2022年9月、キメリックス社はエマーゼント・バイオソリューションズ社 (本社 : 米国メリーランド州) へのプリンシパルに関する権利の譲渡手続きの完了を発表したが、同社の取得したプリンシパルに関する天然痘・エムボックスを含むオルソボ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全世界での独占的開発・製造・販売権に対する影響はない。

BCVのオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定

2024年3月、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、エマージェント・バイオソリューションズ社から同社子会社へ移管された。

BCVの用途特許とIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社は2024年12月期上期決算説明会において、BCVの用途特許の成立と今後のIP（知財）戦略について説明した。

- ▶ BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はそのデータをもとに用途特許を出願した。
- ▶ アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4か月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。
- ▶ 同社は、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指す。
- ▶ 同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるといふ。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が可能と同社は考えている。

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だといふ。

抗がん剤SyB L-0501（FD製剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI投与）（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、商品名：トレアキシン[®]）

トレアキシン[®]に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。

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））

同社はリゴセルチブとトレアキシン[®]に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社（Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州）に社名を変更した。

海外事業（SPU）

100%出資の米国子会社シンバイオファーマUSA（以下、SPU）は、2025年1月に田口賢氏（同社の執行役員兼社長補佐を兼任）をSPUの取締役CEO兼社長に選任した。SPUは、抗ウイルス薬BCVのグローバル事業を牽引する戦略的拠点として、欧米日英の開発を加速させる。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬BCVのグローバル開発を推進するとともに、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施する。他社品の導入を通じて、中長期的な事業価値の創造を目指す。

トピックス

同社は、2024年12月期通期決算説明会（2025年2月）において、2025年12月期の主要な事業展開の目標を以下のように示した。

- ▶ 移植後AdV（アデノウイルス）感染症のP3試験を開始する（Q4の目標）
- ▶ 移植後CMV（サイトメガロウイルス）感染症のP2試験においてPOC確立を目指す（Q3の目標）

- ▶ CMVは比較的患者数が多いため、2番目の用量まで症例集積が終了したと同社は言及した
- ▶ NK/T細胞リンパ腫のP1b試験においてPOC確立を目指す（Q4の目標）
- ▶ 同疾患は患者数が極めて少ない希少疾患であり、国内では上記P1b試験に次ぐP2試験終了後に承認申請できる可能性もあると同社は考えている
- ▶ 脳腫瘍（GBM）P1b試験の検討を開始する（Q4の目標）
- ▶ 多発性硬化症の動物POC確立（Q2目安）が確認されたならば、NIHと共同研究でFIH試験（ヒトでの臨床試験）の治験デザインの検討を開始する（Q4の目標）
- ▶ BCVのグローバルパートナーリングの決定（Q4の目標、同社は免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用を考えているため、ICIの開発企業との提携が望ましいと考えている）
- ▶ 国内市場向けの新規ライセンスの導入を目指す（Q3の目標）

今期会社予想

2025年12月期通期会社予想

(百万円)	23年12月期			24年12月期			25年12月期		前年比
	上期実績	下期実績	通期実績	上期実績	下期実績	通期実績	通期会予		
売上高	3,179	2,411	5,590	1,284	1,168	2,453	1,858	-24.3%	
売上総利益	2,473	1,938	4,411	996	877	1,873	1,357	-27.6%	
売上総利益率	77.8%	80.4%	78.9%	77.6%	75.0%	76.4%	73.0%		
販売費及び一般管理費	2,523	2,700	5,223	2,716	3,034	5,750	5,620	-2.3%	
売上高販管費比率	79.4%	112.0%	93.4%	211.4%	259.7%	234.4%	302.5%		
研究開発費	1,204	1,434	2,638	1,532	1,848	3,379	3,661	8.3%	
前年比	19.3%	-7.2%	3.3%	27.2%	28.8%	28.1%	8.3%		
研究開発費を除く販管費	1,319	1,266	2,584	1,184	1,187	2,371	1,959	-17.4%	
営業利益	-50	-762	-812	-1,719	-2,157	-3,877	-4,263	-	
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	
経常利益	67	-803	-736	-1,481	-2,208	-3,689	-4,347	-	
経常利益率	2.1%	-	-	-	-	-	-	-	
当期純利益	-80	-1,883	-1,963	-1,541	-2,292	-3,833	-4,468	-	
純利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2025年12月期通期会社予想（2025年2月期初）

2025年12月期通期会社予想は、以下の通りである。

- 売上高1,858百万円（前期比24.3%減）
- 営業損失4,263百万円（前期は3,877百万円の営業損失）
- 経常損失4,347百万円（前期は3,689百万円の経常損失）
- 当期純損失4,468百万円（前期は3,833百万円の当期純損失）

同社は2025年12月期において、トレアキシン®に関する市場環境は、後発品の浸透が継続し、薬価の引き下げによる影響、更には感染症の影響も残ると見込んでいる。

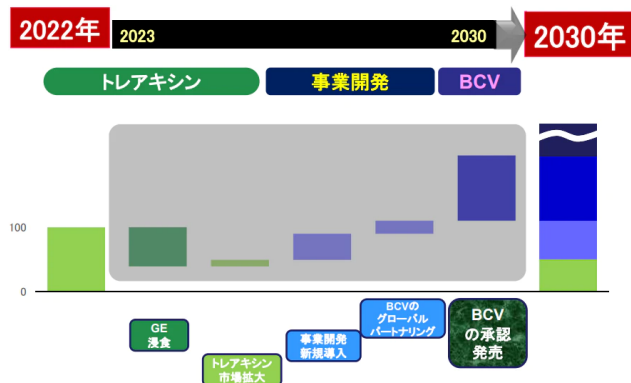
- ▶ 売上高は、薬価の引き下げと後発品浸透の影響、更には感染症の影響も残ることから1,858百万円（前期比24.3%減）を見込む。
- ▶ 売上総利益は、売上高の減少と薬価下落の影響から1,357百万円（同27.6%減）を見込む。売上総利益率は73.0%と前期比3.3ポイント低下する見込みである。

研究開発費は前期に大きく増加した傾向が続き、アデノウイルス及びサイトメガロウイルス感染症並びに2024年度から開始したNK/Tリンパ腫のグローバル開発の推進進、並びに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、3,661百万円（同8.3%増）を計画する。一方、研究開発費を除く販管費は1,959百万円（同17.4%減）、販売費及び一般管理費の合計は5,620百万円（同2.3%減）を見込む。

営業損失は4,263百万円（前期は3,877百万円の営業損失）に拡大する見込みである。

中長期見通し

2023年から2030年までの売上イメージ（2023年2月公表）



出所：会社資料よりSR社作成

*2022年12月期通期決算説明会（2023年2月）時点での会社想定

**縦軸の数値の単位は100百万円

同社は2023年12月期までの中期計画（2020年2月公表）で、2022年12月期に続く2023年12月期においてもトリアキシン®の伸長による業績拡大を見込んでいた。その根拠としては、トリアキシン®は2020年に再審査期間が終了するが、同社が独占的販売権を有するトリアキシン®RTD製剤およびRI投与の上市と切り替えによって、製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能との見解だった。しかしながら、2022年6月と2022年12月にトリアキシン®の後発品が2社から強行発売されたことを受けて、中期計画の見込みを修正し、2023年12月期には前期比30.1%の減収になるとの会社予想を発表した。

同社は2022年12月期通期決算説明会（2023年2月）において、中期計画の見通しを修正した理由と2023年から2030年までの大まかな売上イメージについて説明した。同社は、業績の目標値を含む新しい中期計画については、2023年2月時点で発表していない。

2030年におけるトリアキシン®の売上イメージ

同社が中期計画の見通しを修正した理由は、トリアキシン®の後発品を厚労省が承認し、そのうち2社が同社の特許侵害の警告に対抗して後発品の発売を2022年に強行したためである。国が主導する後発品推進の流れから、国立および準国立の医療機関においては、後発品による浸食は避けられないという。同社は2030年においてトリアキシン®の売上はピーク年収約10,000百万円から半減（約5,000百万円）まで低下すると見通した。この売上半減の見通しには、高齢化やシェア拡大に伴うトリアキシン®の市場拡大の影響を含んでいる。同社は2030年においても、トリアキシン®が処方箋ベースで50%のシェアを確保することを目標としている。

事業開発/新規導入の売上イメージ

同社はBCV以外に、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施している。このような新規導入による売上貢献が2030年までに年間3,000百万円程度期待できるとの見方を示した。

事業開発/BCVのグローバルパートナーリングによる収益イメージ

同社は、BCVの開発において、多発性硬化症やアルツハイマー型認知症などの大型開発は自社単独で行わないと決定し、グローバル開発が可能な製薬大手との共同開発（グローバルパートナーリング）を含めて権利関係を譲渡することを考えている。この権利譲渡に伴う対価は、2030年までの後半5年間で約10,000百万円に達するとの見方から、後半5年間は年平均で2,000百万円程度を見込む。

BCVの開発による売上イメージ

同社は、開発中のBCVを2030年までに2つから3つの承認を取得し販売に結びつけ、2030年までにはトリアキシン®のピーク年収10,000百万円と同等程度をBCVで売上げたいという。

2023年から2030年までの研究開発イメージ（2023年2月）

同社は2022年12月期通期決算説明会（2023年2月）において、2030年までの研究開発のイメージについても説明した。トレアキシン®について開発は終了し、2023年以降はBCVの開発に集中する。BCVは多様な治療領域での可能性があるために、優先順位をつけた開発が重要という。同社はBCVの開発を、治療領域別に以下の3つ領域、すなわち「造血幹細胞移植および臓器移植領域」、「血液腫瘍・がん領域」、「脳神経変性疾患（NDD）領域」、に大別し、開発の優先順位と開発計画タイムラインについて説明した。2030年までに臨床開発が先行し承認取得の可能性が高いのは、このうち「造血幹細胞移植および臓器移植領域」と同社は考えている。

- ▶ 造血幹細胞移植および臓器移植領域
 - ▶ アデノウイルス試験、BKVN試験、CMV試験
- ▶ 血液腫瘍・がん領域
 - ▶ CMV（+）脳腫瘍、NK/Tリンパ腫
- ▶ 脳神経変性疾患（NDD）領域
 - ▶ EBV 多発性硬化症、HSV-1 アルツハイマー型認知症

臨床開発に先行する造血幹細胞移植および臓器移植領域

造血幹細胞移植および臓器移植領域における臨床開発で先行するのは、以下の2つの適応症（アデノウイルス感染症、BKウイルス感染症）である。同社は、2030年までの開発計画において、当該移植領域での承認取得が先行する可能性が高いと考えている。

- ▶ アデノウイルス試験（造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症）
安全性と忍容性に関する第IIa相 漸増用量確認試験実施中 2023年第4四半期終了予定
- ▶ BKVN試験（腎移植後のBKウイルス感染症）
第II相臨床試験実施中 2025年第2四半期終了予定

同社が本格参入を表明した移植領域でのCMV治療薬としての開発

- ▶ CMV試験（造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症）
第Ib相臨床試験準備中（2023年第4四半期開始予定、2025年第1四半期終了予定）

同社は2022年12月期通期決算説明会（2023年2月）において、BCVの移植領域におけるCMV（サイトメガロウイルス感染症）適応症での開発に本格参入する会社方針と、その開発の意義について説明した。CMVの開発は有力な開発候補であったが、BCVに先行して2021年11月に承認を取得した競合薬（武田薬品工業のマリバビル）の治療効果が明らかとなるまで、同社はCMVを適応症とした開発を保留してきた。

同社は、競合品マリバビルの治療効果を見極めた上で、移植領域におけるCMVを適応症とした開発に「空白の治療領域」が残ると判断して、BCVによるCMVを適応症とした開発に本格参入することを表明した。同社が、競合薬マリバビル発売後も「空白の治療領域」が残ると判断した理由は、以下の3つのポイントである。

- マリバビル治療では44.3%が抵抗性で効果がなく、有効な治療法がない
- マリバビル治療でウイルスが検出不能となった後も、6週後で23%・12週後で30%が再発し耐性を発現する
- 先行薬（バルガンシクロビル）に対してマリバビルが非劣性試験において同等性を証明できなかった

移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業がマリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくという。用量設定から開始するために、第Ib相臨床試験を準備中である。2023年第4四半期に開始予定、2025年第1四半期に終了予定である。

血液腫瘍・がん領域

- ▶ CMV（+）脳腫瘍（米国ブラウン大学との共同研究、膠芽腫（GBM））
第I相臨床試験/2024年12月期第2四半期に開始し、2026年12月期第1四半期に終了予定

同社が血液腫瘍・がん領域において、開発のタイムラインを示したのは、CMV (+) 脳腫瘍の1つである膠芽腫 (GBM) のみである。2022年3月に、同社はサイトメガロウイルス (CMV) 感染症に陽性かつ膠芽腫 (GBM) に対する抗腫瘍効果を確認する非臨床試験を、米国ブラウン大学との共同研究で開始した。2023年12月期第3四半期に非臨床試験が終了予定であり、動物におけるPOCの確立を目指す。第1相臨床試験を2024年12月期第2四半期に開始し、2026年12月期第1四半期に終了予定である。

▶ NK/Tリンパ腫 (シンガポール国立がんセンター (NCCS) との共同研究)

NK/Tリンパ腫については、EBウイルス感染の有無に関係なく、BCVが非臨床試験においてNK/T細胞リンパ腫に対して抗ガン活性を示したという。NK/Tリンパ腫については、臨床試験のタイムラインは非開示であった。

脳神経変性疾患 (NDD) 領域

多発性硬化症、アルツハイマー型認知症などの脳神経変性疾患 (NDD) 領域については、同社は自社単独での開発を行わないことを表明した。グローバル開発が可能な製薬大手との共同開発 (グローバル・パートナーリング) を指向し、権利関係の譲渡とその対価の獲得を目指すという。世界的に著名なアカデミアとの共同研究を通じて、動物におけるPOCの早期確立を目指している。多発性硬化症においては、米国NIHと共同で第1相臨床試験を進める。アルツハイマー型認知症においても、第1相臨床試験からパートナーとの共同開発を進めるという。

▶ EBV 多発性硬化症 (米国NIHとの共同研究)

基礎実験 (NIH/同社) 2022年12月期第3四半期から実施中

動物モデル (NIH/同社) 2023年12月期第3四半期から開始目標

第1相臨床試験 (NIH/同社) 2024年12月期第2四半期から開始目標、2025年12月期第2四半期に終了予定

▶ HSV-1 アルツハイマー型認知症 (米国タフツ大学との共同研究中)

3D脳モデル (タフツ大学) 2022年12月期第4四半期から実施中

動物モデル (同社) 2023年12月期第4四半期から開始目標

第1相臨床試験 (パートナー/同社) 2025年12月期第1四半期から開始目標、終了は2026年末以降

開発検討中の治療領域

具体化はしていないが、開発可能性の検討が進んでいるのは以下の治療領域である (2023年2月現在)。

▶ 移植後感染症

- ▶ 造血幹細胞移植後のアデノウイルス/BKウイルス性VHC (出血性膀胱炎)、同移植後のHHV-6脳炎、EBウイルス伝染性単核症

▶ 血液腫瘍・がん領域

- ▶ EBウイルス (+) リンパ腫

▶ 脳神経

- ▶ EBウイルス後遺症

▶ 眼科

- ▶ アデノウイルス流行性角結膜炎

未検討の開発可能性

開発の可能性は残るが未検討なのが以下の治療領域である (2023年2月現在)。

▶ 移植後感染症

- ▶ 造血幹細胞移植後のCMV予防投与、同移植後の抗マルチウイルス薬

▶ 血液腫瘍・がん領域

- ▶ HPV (+) 頭頸部がん、HPV (+) 子宮頸がん

▶ 皮膚科

- ▶ 帯状疱疹ウイルス (VZV) /HPV ヘルペスウイルス

事業内容

事業概要

欧米バイオベンチャー企業等から新薬候補品の開発権、販売権を取得し、製品化

同社は、現社長の吉田文紀氏が、医療ニーズは高いものの、患者数が相対的に少ないとの理由から手つかずとなっている「空白の治療領域」に新薬を届けたいという想いから、2005年3月に設立した。主に海外の製薬企業またはバイオベンチャーから新薬候補品の開発権、販売権を取得し、臨床試験、承認取得を経て、製品化による収益獲得を図っている。

5つの事業戦略を推進

- ▶ **ポストPOC戦略**：既にヒトで有効性や安全性が確立されている（第Ⅰ相臨床試験以降の）新薬候補品を導入することで、開発リスクの低減を図る。
- ▶ **スクリーニング戦略**：新薬候補品の決定に際して、承認取得、収益貢献の可能性が高い候補品を独自のネットワークとスクリーニングプロセスにより選定する。さらに、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB）で絞り込みを行い、承認取得確率を高める。
- ▶ **ラボレス・ファブレス戦略**：臨床試験、製品製造を外部委託し、固定費を抑制する。
- ▶ **ニッチ市場戦略**：市場規模が限定的であるため、大手製薬会社の開発姿勢が消極的である一方、医療ニーズの高いがん・血液・希少疾患領域に対する治療薬を開発対象とする。この戦略により、競争が少ないニッチ市場の中で、高シェア獲得を目指す。
- ▶ **グローバル展開戦略**：新薬の開発に関して、国内のみならずグローバルの権利も確保も目指し、売上拡大の機会を図る。

同社は厳格な絞り込みの結果、候補品の中から厳選した新薬候補品を導入している。

通常、医薬品の開発は基礎研究から製造販売承認取得まで10～17年間の期間を要する。また、一般に、化合物開発から医薬品としての製造販売承認取得に至る確率は10万分の1といわれる。同社は、第1号開発品トレアキシン[®]において、導入から約5年で国内製造販売承認を取得した。さらに、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した実績を有する。

主要パイプライン（開発品）はトレアキシン[®]RTD製剤及びRI投与、プリンシドフォビル、リゴセルチブ注射剤及び経口剤

トレアキシン[®]の適応症追加

トレアキシン[®]は悪性リンパ腫を対象とした抗がん剤である。従来薬と比較して、他の薬剤に抵抗性となった患者に対して有効性と安全性の点で優位性があることが認められている。同社は国内において、トレアキシン[®]について、以下の通り、再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンテル細胞リンパ腫、慢性リンパ性白血病、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テル細胞リンパ腫、再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の承認を取得した。

- ▶ **再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンテル細胞リンパ腫**：オーファンドラッグ（希少疾病医薬品）の指定を受け、2010年10月に同適応症について国内における製造販売承認を取得
- ▶ **慢性リンパ性白血病**：2016年8月に効能追加の承認を取得
- ▶ **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テル細胞リンパ腫**：2016年12月に効能追加の承認を取得

▶ 再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）：2021年3月に効能追加の承認を取得

トリアキシン®RTD製剤及びRI投与

2017年9月、同社は、Eagle社との間でトリアキシン®のRTD製剤および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した。トリアキシン®凍結乾燥注射剤（FD）については、国内で独占的に販売できる期間が2020年後半に切れ、後発品の対策が課題であった。その対策として、2020年9月にトリアキシン®RTD製剤の製造販売承認を取得、2021年1月からトリアキシン®RTD製剤販売を開始した。2022年2月にはRI投与の承認を取得した。

これにより、医療現場において、凍結乾燥品より医療従事者の作業負荷が軽いトリアキシン®RTD製剤及びRI製剤への切り替えを進め、トリアキシン®凍結乾燥注射剤の後発品の普及を抑制する計画である。同社はトリアキシン®RTD製剤及びRI製剤の独占的ライセンス契約によって、「製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能」との見解だった。しかし2022年にトリアキシン®の後発品が、同社の特許侵害の警告に対抗した2社より発売されたことにより状況が大きく変化した。同案件に関する特許権侵害訴訟は、2社との和解が成立したが、その後も3社から後発品の販売が継続している。

リゴセルチブ

リゴセルチブは、骨髄異形成症候群（MDS）の治療薬として開発されている。同社によれば、同薬は注射剤、経口剤、双方の剤型を併せ持ち、比較的安全性が高いため、単剤のみならず他の抗がん剤と併用が可能である。

リゴセルチブ（注射剤）は、2014年2月に、オンコノバ社が欧州において実施した再発・難治性MDSを対象とする第III相臨床試験の部分集団解析結果で有効性が示された。国内では、第I相臨床試験の症例登録が2015年1月に完了している。

オンコノバ社は2015年8月から、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MDS患者を対象として国際共同第III相臨床試験（全世界から20ヵ国以上が参加）を行った。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た。国内において、同社が2015年12月から、オンコノバ社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試験を行った。同社は、国際共同第III相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という。

リゴセルチブ（経口剤）は、オンコノバ社が米国において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（アザシチジン併用）を完了し、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る。国内では、同社単剤での第I相臨床試験を2017年6月に開始し、2019年6月に症例登録を完了した。

プリンシドフォビル

プリンシドフォビルは、シドフォビル（cidofovir：欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、国内では未承認）に特定の長さの脂肪鎖（ヘキサデシルオキシプロピル：HDP）を結合させた抗ウイルス薬である。脂質結合体として新しい作用機序を持ち、シドフォビルと比べて細胞内への取り込み効率が向上し（細胞膜透過性を高め）ている。プリンシドフォビルは細胞内で直接作用する分子に変換され、ウイルスの複製を阻害し、高い抗ウイルス効果を発揮するなどの画期性を有する。加えて、シドフォビルの副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない高活性の抗マルチウイルス薬である。広範囲のDNAウイルス感染症（サイトメガロウイルス（CMV）等のヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得るという。

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、キメリックス社）との間でプリンシドフォビルに関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。これにより、天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたプリンシドフォビル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取得した。2021年8月に、小児のアデノウイルス感染症を対象とする第II相臨床試験を米国で開始し、2023年5月にヒトPOC（Proof of Concept）の確立に成功した。

収入源はトリアキシン®の製品売上

同社の主な収益源はトリアキシン®の製品売上高である。同社は創業以来、2008年12月期を除いて営業損失を継続していた（2008年12月期は、トリアキシン®の国内独占販売権をエーザイに許諾したことに伴う契約一時金を計上したことから、営業利益は黒字となった）。

2021年12月期に営業利益以下の各利益段階で黒字化を達した。2020年12月にトリアキシン®の自社販売を開始したこと、2021年1月にトリアキシン®RTD製剤の販売を開始したことに加え、2021年3月に再発・難治性びまん性大細胞型B

細胞リンパ腫を対象とするトレアキシン®の追加適応承認を取得した。これらの要因により、売上高が増加し、売上総利益率が上昇した。

2023年12月期から後発品の浸食によりトレアキシン®の売上高は急減

同社は、2022年12月期にトレアキシン®の売上高がピークとなり、売上高10,008百万円、営業利益1,964百万円を達成した。その後は後発品の登場により、2023年12月期から売上高が急減する中で、抗ウイルス薬BCVのグローバル開発を推進するために研究開発費が増加して、営業赤字が継続している。

事業戦略

同社は、一般的に新薬を開発する製薬企業と異なり、基礎研究を行わず、世界中の製薬企業及びバイオベンチャーから有望な新薬候補品を探索・評価し、導入する。

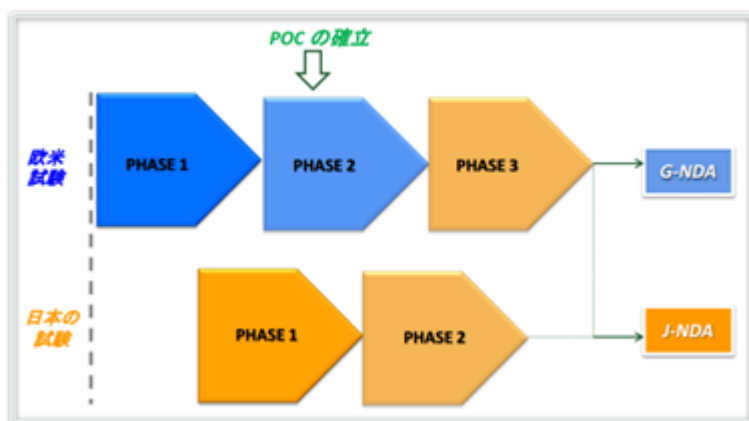
独自の開発体制により、高確率、迅速な創薬を目指している。具体的には、ヒトでの臨床試験が行われている新薬候補物を導入し、臨床開発を行うことで、5~6年以内での承認取得・上市を目指す。また、独自に新薬候補品の情報を収集し、社内の専門家による絞り込みに加え、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB）による評価を受けることで、高確率での新薬承認を目指している。

同社は、開発のリスク低減、費用の効率化、収益機会の拡大のために、以下の通り、ポストPOC戦略、スクリーニング戦略、ラボレス・ファブレス戦略、ニッチ市場戦略、グローバル展開戦略といった5つの事業戦略を実行している。

ポストPOC戦略：ヒトでPOCが確立された化合物を開発対象とする

創薬系事業の特徴として、新薬の開発は長期間にわたり先行投資を強いられ、研究開発の成功確率は低いことがあげられる。一般に、研究所において何らかの生物・生理活性が認められた化合物が新薬として承認に至る確率は2万分の1~2万5千分の1といわれている。また、承認を取得した新薬のうち、上市・販売後に採算が取れるのは、その15~20%以下であるという。

同社の新規開発候補品は、主として既にヒトでPOC（Proof of Concept：新薬候補物質の有効性や安全性が、動物もしくはヒトに投与することによって認められること）が確立されているものを導入することを原則としている。同社によれば、そのような基準で選択した新規開発候補品は、既に海外で先行開発が行われており、開発リスクを軽減できる。また、先行している海外の治験データ活用により、開発期間短縮、開発コスト低減、成功確率を高めることが可能であるという。



出所：同社資料

スクリーニング戦略：独自の探索ネットワークと評価ノウハウを活用

独自の探索ネットワークと評価ノウハウを活用して、候補薬の絞り込みを行う

同社における新薬導入候補の選定では、世界中の製薬企業及びバイオベンチャー企業等が有する化合物の中から、同社が独自に開発データの入手や学界の議論から情報を収集し、社内の専門スタッフによる絞り込みを行う。候補品の探

索チームは、製薬企業等において様々な開発プロジェクトに携わった経験をもつ社員で構成される。

導入先企業を訪問し、デューデリジェンスを実施

候補化合物の選定後は、候補品探索チームが化合物を保有している企業を訪問し、候補品の開発担当者に実験データの有効性、安全性など、公開情報のみでは確認できない詳細情報及び信頼性を導入先企業の経営者に直接、確認する。

医薬品の専門家による候補品の検討会議で評価

その後、医薬品の専門家による候補品の検討会議（SAB：Scientific Advisory Board、以下、SABという）において、関連分野における治療の研究に携わる社外専門家の厳密な評価を受けたうえで、最終的な導入候補品を決定する。

厳格な基準に合致した新薬候補品を導入

同社は候補品の中から、厳格な基準に合致した新薬候補品のみを導入している。その中の1品目が第1号開発品のトレアキシン[®]で、2022年2月現在、同社が国内で販売を行っている。また、骨髄異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブの注射剤および経口剤、抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発が進行中である。

サイエンティフィック・アドバイザー・ボード（SAB）

SABは製薬企業の役員、研究責任者、医師などで構成され、年3回開催される。同社がスクリーニングで絞り込みを行った候補品に対し、専門家の観点で評価する。開発品導入決定までのスクリーニングプロセスは、既に海外において有効性・安全性が確認された開発品を導入するポストPOC戦略と相まって開発リスク軽減と開発期間短縮につながる。また、候補品が医療の現場において求められるものかどうかに関わる医療ニーズの充足度に対する理解、及び上市後の収益予測精度向上に貢献している。

SABメンバー（敬称略）

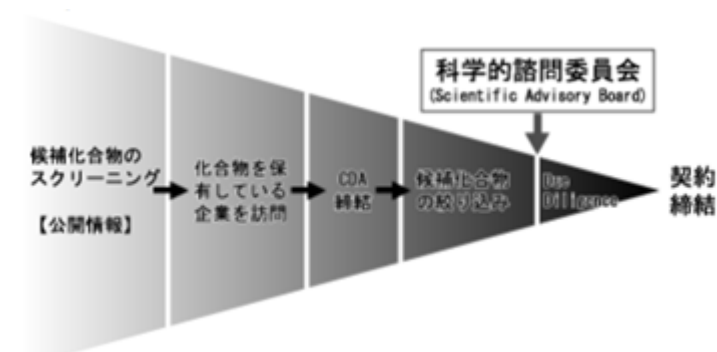
氏名	略歴
George Morstyn	前アムジェン上級副社長グローバルディベロップメント 兼 CMO、臨床試験および承認申請の担当役員として、製薬業界やFDAとのパイプ役を果たす
Robert Lewis	前アベンティス上級副社長 兼 ブリッジウォーター研究所最高責任者シンテックス、アベンティスなどの米大手製薬会社で、研究部門の責任者を歴任
堀田 知光	国立がん研究センター名誉総長、国立病院機構名古屋医療センター名誉院長
小川 一誠	愛知県がんセンター名誉総長
中畑 龍俊	京都大学名誉教授、公益財団法人実験動物中央研究所 理事
須田 年生	熊本大学発生医学研究センター卓越教授、シンガポール国立大学がん研究所 教授
竹内 勤	慶応義塾大学名誉教授、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

出所：同社HPよりSR社作成

上記SABメンバーに加えて、Mathias J. Rummel氏*が、シニアアドバイザーを務める

*独ユストゥス・リービヒ大学、血液学および内科腫瘍学外来医長

同社における候補品の絞り込みプロセス



出所：同社資料

ラボレス・ファブレス戦略：少数経営のファブレス経営

同社は、外部企業との提携型経営の実践により、低コスト・高収益の経営を目指している。そのため、研究設備や生産設備を保有していない。開発候補品の探索・導入後は、開発品の開発戦略策定等の業務に専念し、そのほかに必要とされる定型的な開発業務、製品の製造は外注することにより低コストの医薬品開発・製造体制を実現している。

具体的には、開発については、臨床試験のデザイン、海外の臨床試験との連携、医学専門家との調整等は同社が主体となって手掛ける。定型的な開発業務は、外部へ業務委託する。また、製造についてはライセンス供給元、または国内外の製薬企業へ業務委託する。販売については、トリアキシン®の国内販売は2020年12月9日まではエーザイ株式会社が行っていた。2020年12月から同社が自社販売を開始した。

ニッチ市場戦略：がん・血液・希少疾患領域に特化

同社は、大型新薬（いわゆるブロックバスターと呼ばれ、売上高1,000億円を超えるもの）の追求ではなく、市場規模が100億円程度と小規模でも、医療上のニーズが高く、新薬の開発が遅れている治療領域に収益獲得機会があると捉えている。具体的には、参入障壁が高いと考えるがん・血液・希少疾患領域の治療領域に特化している。

同社によれば、抗がん剤の市場規模は大きく、また高齢者の人口増加に伴い拡大傾向にある一方、抗がん剤の対象疾患は多岐にわたり、がん腫により細分化されているため、各々のがん腫でみると対象患者数が限られる治療領域が数多く存在する。そのような領域での抗がん剤の開発には、高度な専門性が求められ、開発の難度が高い半面、大手製薬企業は採算性などの問題から開発に着手しにくいのが実情である。

一方、このような対象患者数が限られる領域において新薬の承認を取得し、上市できれば、競合が少ないため高収益が実現可能であると同社は考えている。また、同領域で適応症拡大・新製品上市を積み上げていくことで、付加価値の高い製品に作り上げていく。その具体例として、同社の第1号開発品であるトリアキシン®は、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得した。また、2018年7月に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2018年版において、トリアキシン®が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対する標準的治療の選択肢として収載された。

グローバル展開戦略

同社は、トリアキシン®、リゴセルチブに関しては、中国、韓国、台湾、シンガポールを対象とした4カ国においても、日本同様に新薬の開発、販売を推進している。また、プリンシドフォビルに関しては、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取得している。

パイプライン

パイプライン

名称/ 開発番号	適応症	開発状況
プリンシドフォビル (BCV注射剤) SyB V-1901	造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症	第II相臨床試験終了 (2023年5月POCを確立)
	造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス (CMV) 感染症	2024年5月、米国で第IIa相臨床試験を開始
	腎移植後のBKウイルス感染症	2023年8月、臨床開発計画の変更を発表 (プロトコル修正の検討を行う)
	NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫	2024年8月、日本で国際共同第Ib相臨床試験を開始 2025年2月、シンガポールで国際共同第Ib/II相臨床試験を開始
BCVの非臨床試験	EBウイルス/多発性硬化症	米国立神経疾患・脳卒中研究所 (National Institute of Neurological Disorders and Stroke : NINDS)
	単純ヘルペスウイルス/アルツハイマー型認知症	米国タフツ大学
	サイトメガロウイルス (CMV) 感染症/膠芽腫 (GBM)	米国ブラウン大学
トレアキシン®	未定	東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく
リゴセルチブとトレアキシン®	未定	東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う

出所：会社資料、同社HPなどよりSR社作成

2024年12月期末現在、主要なパイプラインの開発状況は、以下の通りである。

- ▶ トレアキシン®については、すべての開発計画を終了したため、パイプライン表から削除した。一方、同剤の開発経緯は、同社ビジネスモデルのサクセスストーリーであるため、後述「SyB L-0501 (一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トレアキシン®)」に各適応拡大とその承認時期を一覧にまとめた
 - ▶ トレアキシン®に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。
- ▶ リゴセルチブ注射剤、リゴセルチブ経口剤については、2020年8月に国際共同第III相臨床試験 (INSPIRE試験) で主要評価項目を達成しなかったことを発表し、その後の進捗は開示されていない。
 - ▶ 同社はリゴセルチブとトレアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社 (Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州) に社名を変更した。
- ▶ 抗ウイルス薬プリンシドフォビル (BCV) : 様々な適応症で開発中である。詳細は「2023年から2030年までの開発イメージ」を参照。2024年12月期末時点で、主要な適応症の開発状況は以下のとおりである。
 - ▶ アデノウイルス (AdV) 感染症：2023年5月、第II相臨床試験においてヒトPOCを確立した。2024年1月、用途特許が成立した。
 - ▶ 腎移植後のBKウイルス感染症：症例集積が遅れており、2023年8月に臨床開発計画の変更を発表した (プロトコル修正の検討を行う)。
 - ▶ 造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス (CMV) 感染症：2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年6月、第1例目の登録が行われ同試験が進行中である。
 - ▶ 2024年8月、再発又は難治性のリンパ腫患者 (NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫) を対象としたBCVの国際共同第Ib/II相臨床試験を日本で開始した。2025年2月、同試験をシンガポールにも拡大した。
 - ▶ その他の適応症：複数のアカデミアと共同研究を実施中 (非臨床試験実施中)

SyBV-1901（抗ウイルス薬プリンシドフォビル、BCV）

同社は2019年9月にキメリックス・インク社（以下、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（SyB V-1901またはBCV）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結した。同社は天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたプリンシドフォビル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た。当該契約において、同社はキメリックス社に対して、契約一時金5百ドル、将来的なマイルストーンとして180百万ドル、製品売上に応じたロイヤリティを支払うこととなっている。プリンシドフォビルについて、同社の従来のパイプラインと比較して、世界全域を対象としていること、開発・販売に加え、製造権も獲得していることが異なる。

キメリックス社は、2021年6月、FDAから天然痘の医学的防衛策としてBCV経口剤の承認を取得した。

同社によれば、キメリックス社はこれまでプリンシドフォビルを経口剤として開発していたが、第Ⅲ相臨床試験に失敗して開発を中断していた。同社はプリンシドフォビル経口剤の失敗を腸管吸収率の低さと毒性による副作用が問題であったと判断し、注射剤で開発すればこれらの問題を回避できると考えた。キメリックス社が、がん領域に注力する方針であることもあり、今回の契約締結に至ったという。

プリンシドフォビル（BCV）の作用機序および対象疾患

プリンシドフォビルは、シドフォビル（cidofovir：欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、国内では未承認）に特定の長さの脂肪鎖（ヘキサデシルオキシプロピル：HDP）を結合させた抗ウイルス薬である。脂質結合体として新しい作用機序を持ち、シドフォビルと比べて細胞内への取り込み効率が向上し（細胞膜透過性を高め）ている。

プリンシドフォビルは細胞内で直接作用する分子に変換され、ウイルスの複製を阻害し、高い抗ウイルス効果を発揮するなどの画期性を有する。加えて、シドフォビルの副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない高活性の抗マルチウイルス薬である。広範囲のDNAウイルス感染症（サイトメガロウイルス（CMV）等のヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得るといえる。

シドフォビル（cidofovir：CDV）：AIDS患者におけるサイトメガロウイルス網膜炎治療薬として、1996年にFDA承認済みである。シドフォビルは、ヘルペスウイルス科のみならず、アデノウイルス、パピローマウイルス、ポリオマウイルスなどのDNAウイルスの複製を阻害する。

シドフォビルは、腎尿細管上皮細胞で有機アニオントランスポーター（OTA1）によって取り込まれ、蓄積することで腎毒性を生じる。プリンシドフォビルは脂肪鎖があることで、OAT1への取り込みが回避され、腎尿細管上皮細胞への蓄積が生じないため、シドフォビルの問題であった腎毒性が回避されると期待される。

プリンシドフォビル（BCV）の抗ウイルス活性と他剤との比較

Viral Family	Virus	BCV	Cidofovir	Maribavir	Letermovir	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

出所：同社資料

*表はIC50（ μM ）の値（薬物が標的としているウイルスの半数（50%）の働きを阻害できる濃度）。数値が低いほど抗ウイルス活性が高い。

*Cidofovir、Maribavir、Letermovir、Ganciclovir、Foscarnet、Acyclovirは抗ウイルス薬。

プリンシドフォビル（BCV）の注射剤の開発状況

プリンシドフォビルの注射剤は、米国において第Ⅰ相臨床試験が終了しており、重篤な副作用は見られなかった。

小児対象のアデノウイルス感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験

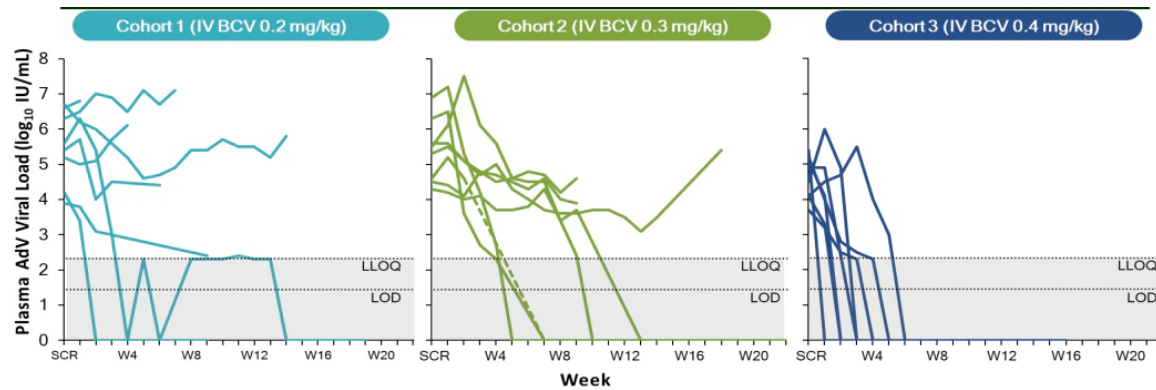
2021年3月に、小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）に治験許可申請（IND）を行った。同開発プログラムは、2021年4月に、FDAからファスト・トラック（Fast track）指定を受け、2021年8月には第1例目の投与を開始した。さらに、2022年1月に英国医薬品庁（MHRA）に治験申請（CTA）を提出し、受理された。

2023年5月、BCVがヒトPOCを確立

アデノウイルス（AdV）を対象とするBCVの第Ⅱ相臨床試験は、2023年5月にヒトPOC*を確立した（*Proof of Concept：研究開発中である新薬候補物質の有用性・効果が、ヒトに投与することによって確認されること）。2021年8月に第1例目の投与を開始（FPI）してから2年弱で、AdVを対象としたBCV注射剤の有効性と安全性がヒトにおいて確かめられた。

- ▶ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた。
- ▶ コホート1～3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された。

2023年12月の米国血液学会（ASH）におけるOral Presentationから抜粋



出所：会社資料よりSR社作成

*縦軸が血中におけるAdVの量であり、ゼロに近づくほど有効性が高いことを示している

**コホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された

AdVを対象としたBCVの第II相臨床試験の結果について、学会発表は以下の通りである。

- 2023年12月、第65回米国血液学会年次総会（ASH）、口頭発表
- 2024年2月、米国2024年 Tandem Meeting、Pediatric Best Abstracts（小児医療の優良演題）
- 2024年4月、第50回欧州骨髄移植学会、Oral Presentationに採択

BCV注射剤のPOC確立により事業仮説が実証された

キメリックス社はプリンシドフォビル（BCV）を経口剤として開発したが、第III相臨床試験に失敗して開発を中断した。同社はプリンシドフォビル（BCV）経口剤の開発失敗の理由を、「腸管吸収率の低さと毒性による副作用が問題であった」と判断し、注射剤で開発すればこれらの問題を回避できると考え、キメリックス社からBCV注射剤の開発の権利を2019年9月に獲得した経緯がある。

同社は、2023年5月にBCV注射剤がヒトPOCを確立したことにより、「BCVを注射剤で開発すれば、BCV経口剤が第III相臨床試験に失敗した問題を回避できる」との事業仮説が実証された、と判断して自信を深めている。

BCV注射剤について、この他に移植領域、がん領域、神経感染症領域での開発を検討または準備している。AdVを対象としたBCV注射剤がヒトPOCを確立したことにより、同社はこれらの複数の治療領域においての事業化の可能性が高まったと判断している。

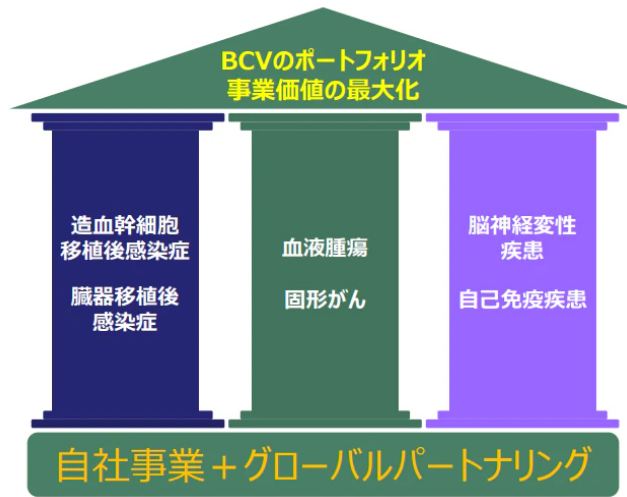
2043年までの用途特許が成立

BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はその第II相臨床試験のデータをもとに用途特許を出願した。アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4カ月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。

BCVのIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社はBCVのヒトPOC確立と用途特許の成立を受けて、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指すという。

同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるという。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が可能と同社は考えている。



出所：会社資料よりSR社作成

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だといふ。

BCVは数多くの適応症に対して事業化が可能であるが、同社は自社開発と他社とのパートナーリングを組み合わせ、BCVの事業価値の拡大を目指す。詳細については「中長期見通し」を参照。

移植領域

造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象とする開発

同社は、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、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象に、日本、アメリカ、ヨーロッパを中心として、プリンシドフォビルのグローバル開発を進めることを決定した。2022年12月期第1四半期に、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象に国際共同第II相臨床試験の開始し、2023年12月期第4四半期に終了を予定していた。当該試験により得られた知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種dsDNAウイルス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する。

同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、プリンシドフォビル経口剤が高活性の抗ウイルス効果を示している。また広域のスペクトラムを有することが確認されている。プリンシドフォビル液剤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および治療に対する有効性と安全性が期待されるという。

造血幹細胞移植とは、通常の化学療法では治すことが難しい血液がんや免疫不全症などに対して、完治させることを目的として行われる治療法のひとつである。日本では約4,000人の他家造血幹細胞移植があり、その約60%がウイルス性出血性膀胱炎（VHC）またはHHV-6脳炎に罹患するという。なお、ウイルス性出血性膀胱炎については、欧米ではシドフォビルが第一選択薬的に使用されている。また、脳炎についてはホスカビルやデノシンが第一選択薬でシドフォビルは第二選択薬に位置付けられている。

臓器移植分野等の対象領域拡大（腎臓移植後のBKウイルス感染症）

同社はプリンシドフォビルについて、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象とする開発に加え、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により、市場の拡大、事業価値の最大化を目指すとしている。2022年12月期第3四半期に、腎臓移植後のBKウイルス感染症を対象とする第II相臨床試験を開始し、2025年12月期第2四半期に終了を予定していたが、この計画は実現しなかった。

腎臓移植後のBKウイルス感染症の開発は、現在プロトコルの修正の検討を行っている。2022年8月、オーストラリアで国際共同第II相臨床試験の第1例目の投与（FPD）を開始したが、症例集積が遅れていた。

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス（CMV）感染症）

同社は2022年12月期通期決算説明会（2023年2月）において、BCVの移植領域におけるCMV（サイトメガロウイルス感染症）適応症での開発に本格参入する会社方針と、その開発の意義について説明した。CMVの開発は有力な開発候

補であったが、BCVに先行して2021年11月に承認を取得した競合薬（武田薬品工業のマリバビル）の治療効果が明らかとなるまで、同社はCMVを適応症とした開発を保留してきた。

同社は、競合品マリバビルの治療効果を見極めた上で、移植領域におけるCMVを適応症とした開発に「空白の治療領域」が残ると判断して、BCVによるCMVを適応症とした開発に本格参入することを表明した。同社が、競合薬マリバビル発売後も「空白の治療領域」が残ると判断した理由は、以下の3つのポイントである。

- マリバビル治療では44.3%が抵抗性で効果がなく、有効な治療法がない
- マリバビル治療でウイルスが検出不能となった後も、6週後で23%・12週後で30%が再発し耐性を発現する
- 先行薬（バルガンシクロビル）に対してマリバビルが非劣性試験において同等性を証明できなかった

2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年6月、第1例目の登録が行われ同試験が進行中である。

- ▶ サイトメガロウイルス（CMV）感染症はアデノウイルス（AdV）感染症に比較して患者数が多いため、患者登録は順調に推移しているとのことである。
- ▶ 武田薬品工業の競合薬マリバビル（製品名：LIVTENCITY）の2024年3月期における売上高は、19,100百万円だった。移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業が競合薬マリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくという。

dsDNAウイルス：CMV（サイトメガロウイルス）、AdV（アデノウイルス）、HHV-6（ヒトヘルペスウイルス6）、BKウイルス、HSV1/2（単純ヘルペス1型・2型）、VZV（水痘帯状疱疹ウイルス）、HPV（ヒトパピローマウイルス）、JCV（進行性多巣性白質脳症）、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。

ウイルス性出血性膀胱炎（VHC）：造血幹細胞移植後に頻発するウイルス感染症の中でも、出血性膀胱炎をきたすアデノウイルス感染症は、一般に難治性であり、重症化すると播種性の感染症を来して致死性となる。また、アデノウイルスが腎臓に移行して腎不全をもたらす致死となる例も報告されている。特に国内での比率が高い非血縁者ドナーおよび臍帯血移植において発症しやすく、免疫システムの再構築に要する時間的問題もあいまって、難治性となることが多く、シドフォビル（CDV）など現在治療に用いられている薬剤は未承認あるいは適応外である。

HHV-6脳炎：HHV-6（Human herpesvirus 6）は6番目に発見されたヒトヘルペスウイルス。同種造血幹細胞移植においてHHV-6の再活性化が30-70%の患者に生じ、HHV-6脳炎の原因となる。ほとんどのHHV-6脳炎は2-6週目に発症し、最も頻度が高いのは移植後3週目である。記憶障害、意識障害、痙攣が三大症状であり、典型例では記憶障害から意識障害、痙攣と段階的に症状が進行するが、痙攣の発症頻度は30-70%と報告されている。進行が早い例では神経症状は時間単位で悪化し繰り返す痙攣や呼吸抑制のため人工呼吸器管理を必要とする症例も少なくない。

HHV-6脳炎発症例に対しては早期の治療開始は重要で、短時間で急速に患者の状態が悪化することが多い。2018年2月に日本造血細胞移植学会が編集し発行した造血細胞移植ガイドラインでは、第1選択薬はホスカルネット（FOS）またはガンシクロビル（GCV）、第2選択薬はシドフォビル（CDV）である。CDVが第2選択薬とされているのは腎毒性と薬剤の脳脊髄液（CSF）中への移行不良のためとされる。しかしこれらin vitroで効果が確認された薬剤の、HHV-6脳炎発症例に対する臨床効果を確認する試験は現在まで実施されていない。

がん領域

また、プリンシドフォビルは高い抗ウイルス作用に加え、抗腫瘍効果も期待されている。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、難治性脳腫瘍、EBウイルス陽性リンパ腫等、がん領域における新規適応症の探索も行っている。

2023年2月時点において、サイトメガロウイルス感染の膠芽腫（GBM :Glioblastoma Multiforme）を対象とした非臨床試験を実施している。同社によれば、GBMの患者の約50%がサイトメガロウイルスに感染しており、サイトメガロウイルスは腫瘍形成を促進する可能性があるという。また、GBMを対象とする開発中の治療薬は多くあるが、サイトメガロウイルスとGBMを対象とする治療薬はない（プリンシドフォビルのみである）という。2022年3月に同社は、サイトメガロウイルス感染症の脳腫瘍に対するプリンシドフォビル注射剤の抗腫瘍効果を検討する非臨床試験を、米国ブラウン大学との共同研究として開始した。

膠芽腫：脳のなかに発生する悪性の脳腫瘍で、脳の神経細胞を支える神経膠細胞が腫瘍化したものである。神経膠芽腫の生存期間は15～20カ月で、5年生存率とは5%以下である。

BCVの臨床開発（血液腫瘍・がん領域への応用）

2024年8月、がん領域におけるBCVのFIH（First in Human）試験として、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第1b相臨床試験を開始した。同試験はBCVのがん領域におけるヒトPOCを確立することを目的としている。

- ▶ 同試験は、アデノウイルス（AdV）感染症、サイトメガロウイルス（CMV）感染症に次いで、BCVの3番目となる臨床試験であり、がん領域としてはBCV最初の臨床試験である。
- ▶ 2025年2月、同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第1b/II相臨床試験をシンガポールにおいても開始した。

神経感染症領域、その他領域

Science誌（2022年1月）によれば、ハーバード大学のチームが、EBウイルス感染が多発性硬化症（MS：Multiple Sclerosis）の主要発症因子であることを解明した。1,000万人を超える米軍兵役成人のサンプルの解析結果から、EBウイルス感染歴がある場合、MS発症のリスクが32倍に上昇するという。また、Nature誌（2022年1月）において、スタンフォード大学の研究チームが、EBウイルスとMS発症の機序を解明した。これはMSが発症した後、体からEBウイルスを駆除することができれば、MSの進行を妨げることができると示唆しているという。

プリンシドフォビルはEBウイルスに対して高い抗ウイルス活性を持つことから、同社はプリンシドフォビルがMSの治療に有効であるかを検討するとしている。

多発性硬化症（MS：Multiple Sclerosis）：脳や脊髄、視神経のあちこちに病巣ができ、様々な症状が現れるようになる病気。MSになると多くの場合、症状が出る「再発」と、症状が治まる「寛解」を繰り返す。症状はどこに病変ができるかによって千差万別で、視力の低下、複視、運動麻痺などが起こる。MSの患者数は世界で約300万人であり、治療薬の売上高は1.5兆円超である（2020年）。

BCVの非臨床試験（EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患）

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurological Disorders and Stroke：NINDS）との間で、共同研究試料提供契約（Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials）を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約（CRADA：Cooperative Research and Development Agreement）を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会（9th Joint ECTRIMS-ACTRIMS Meeting）において発表された。

CRADA：米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという（同社は日本企業としては2社目）。

2023年4月には、米国国立衛生研究所に所属する国立アレルギー・感染症研究所（NIAID：National Institute of Allergy and Infectious Diseases）との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約（CRADA）を締結した。

*T細胞リンパ腫、バーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。（出所：同社第18期定時株主総会資料）

BCVの非臨床共同研究（単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症）

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス（HSV）が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマー型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

SyB L-0501（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、商品名：トリアキシン®）

トリアキシンの開発：同社のサクセスストーリー

トリアキシン®については、すべての開発計画を終了したため、パイプライン表から削除した。一方、同剤の開発経緯は、同社ビジネスモデルのサクセスストーリーであるため、下記に各適応拡大とその承認時期を一覧にまとめた

トリアキシン®の適応症と承認取得の時期

商品名/ 開発番号	適応症	開発状況
トリアキシン® SyB L-0501 FD凍結乾燥剤	再発・難治性 低悪性度NHL/MCL	2010年10月 承認取得
	慢性リンパ性白血病	2016年8月 承認取得
	未治療 低悪性度NHL/MCL	2016年12月 承認取得
	再発・難治性 多発性骨髄腫	2021年3月 承認取得
トリアキシン® SyB L-1701 RTD製剤	全適応症 (再発・難治性DLBCLを除く)	2020年9月 承認取得
	再発・難治性DLBCL	2021年4月 承認取得
トリアキシン® SyB L-1702 RI投与	全適応症	2022年2月 承認取得

出所：同社HPよりSR社作成

MHL：非ホジキンリンパ腫、MCL：マンツル細胞リンパ腫、

DLBCL：びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（非ホジキンリンパ腫の一種で、発生頻度が最も高い）

開発の経緯

SyB L-0501（以下、トリアキシン®とする）の主成分であるベンダムスチン塩酸塩は、1971年にドイツにおいて開発され、低悪性度非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫、慢性リンパ性白血病などの悪性リンパ腫の治療薬として使用されている抗がん剤である。

トリアキシン®（ベンダムスチン塩酸塩）：旧東ドイツで開発。東西ドイツ統一後に、旧東ドイツで承認されていた適応症について再評価され、低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫及び慢性リンパ性白血病を対象とした臨床試験が実施された。ドイツでは2005年に未治療の進行期低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及び多発性骨髄腫の2疾患に適用が再承認された。また、2008年には未治療の慢性リンパ性白血病の適応症が追加申請された。2007年にはヨーロッパ各国でも順次承認された。米国においては2008年3月に承認され、同年10月に発売されている。

同社によれば、同剤は従来薬と比較して交叉耐性（当該薬物と類似の構造や作用を有する他の薬物に対しても耐性が生じること）が認められない等の特徴を有しており、有効性と安全性の点で優位性があるという。同社は、2010年10月に再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫を適応症として同剤の国内製造販売承認を取得。2010年12月から販売提携先のエーザイで同剤を販売開始した。2016年8月にトリアキシン®の慢性リンパ性白血病に対する効能追加、2016年12月に未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンツル細胞リンパ腫に対する効能追加の承認を取得した。2021年3月に、同剤の再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫（びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL））について、適応症追加の承認を取得した。

RTD製剤は2020年9月に承認取得、RI投与は2022年2月に承認取得

ベンダムスチン塩酸塩のRTD製剤については、2020年9月に承認を取得し、2021年1月に国内販売を開始した。RI（急速静注）投与については、2022年2月に承認を取得した。

トリアキシン®はアステラスから導入、エーザイと国内共同開発、2020年12月から自社で販売

同社は、トリアキシン®に関して、2005年12月にアステラス製薬株式会社（東証PRM 4503、以下、アステラス製薬とする）の欧州子会社であるアステラス ドイツランド社（ドイツ、Astellas Deutschland GmbH）から、日本における独占的開発権及び独占的販売権の許諾を受けた。その後、2007年4月に中国、台湾、韓国及びシンガポールの4カ国に契約対象地域を拡大した。

一方、同社は、2008年8月に、エーザイに対し、日本におけるトリアキシン®の共同開発権及び独占的販売権を許諾した。その対価として、同社はエーザイから契約一時金及び臨床試験段階に応じたマイルストーンを受け取った。また、同剤をエーザイに販売することにより、販売収益を得ること、同剤に関わる開発費用は、同社とエーザイでそれぞれ折半することとなった（「収益構造」の項参照）。なお、エーザイとの事業提携契約は2020年12月9日に満了した。2020年12月10日からトリアキシン®の国内販売については同社の自社販売に移行した。

2017年9月にベンダムスチン塩酸塩（日本における商品名：トリアキシン®）のRTD製剤及びRI投与に関するライセンス契約を締結

2017年9月、同社は、Eagle Pharmaceuticals, Inc.（Eagle社）との間でベンダムスチン塩酸塩（日本における商品名：トリアキシン®）のRTD製剤（RTD: Ready To Dilute）およびRI投与（RI: Rapid Infusion）であるベンダムスチン液剤製品（Teva Pharmaceutical Industriesの米国商標：BENDEKA®）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した。同契約に基づき、同社は、Eagle社に対して1,250万米ドルの契約一時金及び承認取得時のマイルストーンを支払い、販売開始後に販売額目標達成に応じた販売マイルストーン及びロイヤリティを支払う。

凍結乾燥注射剤のトリアキシン®と比較して、RTD製剤は溶解作業が不要、RI投与はさらに点滴時間を6分の1に短縮

従来のトリアキシン®は凍結乾燥注射剤で、患者への点滴前に医療従事者の手動による溶解作業が必要であった。それに対して、液化されたRTD製剤では、手動による溶解作業が不要であり、医療従事者の作業負担が軽減される。また、急速静注であるRI投与では、RTD製剤同様に溶解作業が不要であることに加え、点滴時間が凍結乾燥注射剤およびRTD製剤の60分間と比較して、10分間に短縮される。また、希釈の生理食塩液の量がRTD製剤の5分の1と、塩分量が少なくできるため、高齢の患者にも適しているという。

トリアキシン®の製品ライフサイクルは2031年まで延長可能とのシナリオだった

凍結乾燥注射剤のトリアキシン®は2020年に再審査期間が終了し、その後、後発品の製造・販売が可能となった。同社によれば、凍結乾燥注射剤のトリアキシン®の再審査期間が終了した後も、医療従事者の作業負担、患者への負担の面で優位にあるRTD製剤及びRI投与を上市し、浸透した場合、同剤の独占販売期間は2031年まで続くと同社は期待していた。これによって、トリアキシン®の製品ライフサイクルを延長し、後発品の普及を抑制する方針であった。

先発医薬品を開発した会社は、特許、再審査によってその権利と利益が守られている。具体的には、開発してから、特許権の存続期間満了まで（原則20年、最大25年）、他の会社は同じ成分のくすりを作ることができない。また、先発医薬品の場合、製造販売承認後、原則6年間（最大10年間）の再審査期間が設けられており、この期間内は仮に先発医薬品の特許が切れていても、ジェネリック医薬品（後発医薬品）の申請をすることができない。

RTD製剤およびRI投与は、米国市場においてはEagle社よりBENDEKA®という商品名で販売されている。BENDEKA®は発売後2年以内に米国においてベンダムスチン市場の97%のシェアを獲得した。同社によれば、米国ではトリアキシン®液剤の後発医薬品の上市を試みた企業はあったが、全てEagle社の特許に触れ、訴訟でEagle社が勝訴したことから、日本においても、トリアキシン®液剤の後発医薬品は発売されないと同社はみていた。

結果的に、日本においては2022年6月に東和薬品社が、2022年12月にファイザー社がトリアキシン®の後発品の発売を強行し状況が変化した。2022年12月、同社は2社に対して特許侵害訴訟を提起したが、最終的に後発品の販売は継続した。

SyB L-1101（注射剤）／SyB C-1101（経口剤）（一般名：リゴセルチブ）

- ▶ リゴセルチブ注射剤、リゴセルチブ経口剤については、2020年8月に国際共同第Ⅲ相臨床試験（INSPIRE試験）で主要評価項目を達成しなかったことを発表し、その後の進捗は開示されていない。

2024年12月期末の状況

同社はリゴセルチブとトレアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社（Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州）に社名を変更した。

リゴセルチブはオンコノバ社から導入、同社は日韓における開発権及び販売権を有する

2011年7月、同社はオンコノバ社による米国における第Ⅱ相臨床試験終了時に、契約一時金約800百万円（SR社推定）で、同剤の注射剤、経口剤に関する日本及び韓国における独占的開発権及び販売権を取得した。

なお、バクスター社は、2012年9月にリゴセルチブの欧州市場における独占的開発・販売権をオンコノバ社から取得した。権利料は一時金50百万ドル、マイルストーン支払い等を含め総額565百万ドルであった。

リゴセルチブの開発経緯

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社は2015年8月から、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MDS患者を対象として国際共同第Ⅲ相臨床試験（全世界から20カ国以上が参加）を行った。また、国内では、同社が2015年12月から国際共同第Ⅲ相試験の日本における臨床試験を行った。その結果、オンコノバ社は、2020年8月に国際共同第Ⅲ相臨床試験においてリゴセルチブ（注射剤）が主要評価項目を達成しなかったことを発表した。オンコノバ社はさらに追加解析を行っている。これに対して、同社は国際共同第Ⅲ相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としている。

リゴセルチブ（経口剤）については、オンコノバ社が米国において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（アザシチジン併用）を完了し、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および安全性が示唆されている。同社は2017年6月にリゴセルチブ経口剤単剤の日本人での忍容性および安全性を確認するために国内第Ⅰ相臨床試験を開始、2019年6月に症例登録を完了した。

新規適応症の探索

2021年1月、同社は、東京大学医科学研究所との間で、ベンダムスチンおよびリゴセルチブの新規適応症の探索に関する共同研究契約を締結した。

同社は同契約に基づき、東大医科研附属先端医療研究センター細胞療法分野・北村俊雄教授と共同研究を行い、ベンダムスチン、リゴセルチブに関して、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う。

北村俊雄教授との共同研究において、複数の腫瘍細胞等を用いてエピジェネティック制御の解析を行う。これにより、ベンダムスチン、リゴセルチブの従来認知されていた作用以外の薬理作用の検討、両化合物あるいは他の既存薬との組み合わせにより得られる薬理作用の解析を行う。

北村俊雄教授は、これまで白血病などの造血器腫瘍の研究と造血幹細胞分化の研究において研究業績と研究・臨床のネットワークを有している。また、これまでエピジェネティック異常による造血器腫瘍の発症の分子機構解明や造血器腫瘍モデルを利用した新規治療法の開発に取り組んできた。同社は、これまで培った抗がん剤の早期承認取得の実績および経験を活かし、東京大学医科学研究所と共同して当該開発品の新規適応症の探索を進める。

収益構造

(百万円)	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期
売上高	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987	8,257	10,008	5,590	2,453
前年比	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%	176.4%	21.2%	-44.1%	-56.1%
製品売上高	1,933	2,137	3,444	3,810	2,811	2,977	8,257	10,008	5,590	2,453
前年比	-0.3%	10.6%	61.1%	10.6%	-26.2%	5.9%	177.4%	21.2%	-44.1%	-56.1%
トリアキシン薬価ベース売上 (参考値)	4,760	4,720	7,600	8,500	-	-	-	-	-	-
製品売上高/薬価ベース売上	40.6%	45.3%	45.3%	44.8%	-	-	-	-	-	-
権利収入	-	231	-	26	26	10	-	-	-	-
イーザイ社向け売上高	1,852	2,265	3,382	3,648	2,831	2,546	-	-	-	-
前年比	-2.9%	22.3%	49.4%	7.9%	-22.4%	-10.1%	-	-	-	-
イーザイ社以外向け売上高	81	104	62	187	6	441	8,257	10,008	5,590	2,453
売上原価	1,350	1,464	2,413	2,663	1,973	2,120	2,452	2,408	1,179	580
原価率 (売上原価/製品売上高)	69.8%	68.5%	70.1%	69.9%	70.2%	71.2%	29.7%	24.1%	21.1%	23.6%
原価率 (売上原価/薬価ベース売上)	28.4%	31.0%	31.7%	31.3%	-	-	-	-	-	-
製品仕入	1,242	1,606	2,589	2,969	1,684	3,163	2,145	-	-	-
売上総利益	583	904	1,031	1,173	865	867	5,800	7,600	4,411	1,873
製品売上総利益	583	673	1,031	1,147	838	857	5,800	7,600	4,411	1,873
売上総利益率	30.2%	31.5%	29.9%	30.1%	29.8%	28.8%	70.2%	75.9%	78.9%	76.4%
権利収入	-	231	-	26	26	10	-	-	-	-
販売費及び一般管理費	3,135	3,031	4,978	3,829	5,166	5,373	4,784	5,636	5,223	5,750
人件費	488	541	554	504	506	530	574	-	-	-
研究開発費	2,035	1,667	3,018	1,833	2,442	2,267	1,736	2,555	2,638	3,379
その他	612	823	1,406	1,492	2,219	2,576	2,474	-	-	-
営業利益	-2,652	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506	1,016	1,964	-812	-3,877

出所：会社資料よりSR社作成

*Symbio Pharma USA, Inc.が稼働を開始したことに伴い、2022年12月期から連結決算へ移行した。2022年12月期実績は連結での数値であり、前年比は参考値であることに留意。

売上高

同社の売上高は、製品売上高と権利収入で構成される。上表の通り、2019年12月期まで、同社の売上高のほとんどは、イーザイを相手先とする売上高であった。同社は2020年12月10日よりトリアキシン®の自社販売を開始し、2020年12月期はイーザイ以外向け売上高が441百万円に、2021年12月期以降は全売上高がイーザイ以外向け売上高となった。

製品売上高

製品売上高は、医薬品の売上高である。同社は2010年10月にトリアキシン®の承認を取得し、2010年12月期から販売を開始、損益計算書には2010年12月期から製品売上高を計上している。2016年12月期までは主に再発・難治性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するトリアキシン®の売上高が計上されている。

2017年12月期には、2016年12月に追加承認を取得した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を適応症とするトリアキシン®の売上高が加わり、2016年12月期比で増加した。

2019年12月期は製品売上高が前期比で減少した。トリアキシン®の国内販売において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 GmbHから輸入した凍結乾燥注射剤において異物の混入および外観不良などが認められたことを受け、同社から販売委託先のイーザイ株式会社へのトリアキシン®100mg製剤の出荷時期が当初の予定よりも遅延した。その結果、売上高は前期比で減収となった。

2021年12月期において、イーザイ社から自社販売に移行した事等により売上高が増加した。同社とイーザイ株式会社との間で締結したトリアキシン®に関する事業提携契約が2020年12月9日で契約満了になり、同社は、2020年12月10日から自社による国内販売を開始した。これにより、同社の出荷先はイーザイから医薬品卸業者に変わり、同社は、従来から得ていた売上総利益（同社からイーザイへの売上高と原価の差）に加え、2020年12月9日までイーザイが得ていた売上総利益（イーザイから医薬品卸業者へ出荷額とイーザイが同社から仕入れた額との差）も獲得することとなった。

2023年12月期以降は、トリアキシン®の市場を後発品に侵食されたため、売上高が急減している。

権利収入

権利収入は、契約一時金収入、マイルストーン収入等が計上される。

売上原価

売上原価は、薬剤の仕入原価である。同社はトリアキシン®凍結乾燥剤については、アステラス ドイツランド社より仕入れている。2019年12月以前において、仕入価格は同社からイーザイへの卸値の70%程度であった。上述の通り、同社は2020年12月10日よりトリアキシン®の自社販売を開始した。これにより、自社販売以前において、イーザイ

が獲得していた販売にかかる収益（エーザイから医薬品卸業者に販売する売上高と同社からエーザイへの出荷額の差分）を同社は受領することとなり、売上総利益率が上昇した。

また、同社が2021年1月に国内販売を開始したトリアキシン®液剤（RTD製剤およびRI投与）については、米国イーグル・ファーマシューティカルズ社より仕入れている。同社によればトリアキシン®液剤の売上総利益率はトリアキシン®凍結乾燥剤より高い。

販売費及び一般管理費

販売費及び一般管理費は人件費、研究開発費が主な費用項目である。

人件費

人件費は、役員、マーケティング、導入候補品探索、一般管理などの人員に対する費用であり、パイプラインの増加と事業の拡大に伴う人員数の増加によって、緩やかに増加した。しかし2022年にトリアキシン®の後発品が、同社の特許侵害の警告に対抗した2社より発売されたため、2022年12月期以降は低下傾向にある。

研究開発費

研究開発費は、研究開発人員に対する人件費、臨床試験に係る外注費用、導入候補品の契約一時金などである。臨床試験の進捗状況、新規開発候補品の導入などにより変動する。同社によれば、1品目当たりの候補品導入費用は500～1,000百万円であり、国内における臨床試験費用は1,000～2,000百万円である。

トリアキシン®（凍結乾燥注射剤）の開発費に関しては、エーザイが半額を負担していた。

2024年12月期における開発中のパイプラインは、抗ウイルス薬プリンシドフォビル（BCV）である。同社は、予定していたトリアキシン®の開発はすべて終了したため、多様な疾患の治療薬として可能性があるBCVに開発資源を移行している。

SW（Strengths, Weaknesses）分析

強み（Strengths）

承認取得確率の高い候補品を探索・評価・導入する力：同社の開発候補品導入は、社内の探索・評価チームによる1次スクリーニング、企業への訪問、医薬品の専門家による検討会議（科学的諮問会議：SAB）を経て決定される。特に、同社のSABは、創業社長の吉田氏が、日本アムジェン社長、米国アムジェン社本社副社長時代に築き上げた人的ネットワークによって、各方面の専門家が参画しており、他社に対する差別化要素となっている。実際に、同社はこのような探索・評価力により、優れた開発候補品の導入実績を上げている。

短期間で製品化（上市）する開発力：同社の開発第1号品である抗がん剤トリアキシン®については、導入後5年という早期での承認取得と販売開始を実現し、2010年12月の国内販売開始から約3年半で、再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫の領域においては、エッセンシャル・ドラッグ（標準薬）となっている。このトリアキシン®に関する実績は、同社の開発力の高さを示しているといえよう。

「空白の治療領域」におけるシェアの獲得力：同社は、医療ニーズは高いものの、患者数が相対的に少ないとの理由から手つかずとなっている「空白の治療領域」へ積極的に取り組んでいる。また、同社は、がん・血液・マルチウイルス感染症を中心とする希少疾患領域の治療領域の開発に特化している。実際に、トリアキシン®は、発売後3年で市場シェアの5割以上を獲得するに至っており、「空白の治療領域」において高いシェアを獲得した実績を有する。

弱み（Weaknesses）

特定人物への依存：同社の代表取締役社長の吉田文紀氏は、創業者であり、創業当時より経営全般にわたる事業の推進者として中心的な役割を担っている。また、小規模組織であり、少人数の開発体制としている。何らかの理由により、重要な役割を担う人物の業務の遂行が困難となった場合には、同社の事業運営に影響を及ぼす可能性がある。

特定製品への依存：2024年12月期末時点において、同社の商品売上高はトリアキシン®の売上高のみである。同社はバイオベンチャーであり、上市済みの医薬品を有していること自体が強みともいえるが、特定製品に依存していることは業績変動リスクを高める要因になっている。2019年12月期および2020年12月期において、アステラス ドイツラン

ド GmbHから輸入したトレアキシン®凍結乾燥注射剤の異物混入および外観不良などにより、同社の販売が一時的に減少し、売上高および売上総利益が減少した。2023年12月期以降は後発品の影響などにより、営業損失となった。

マーケット概略

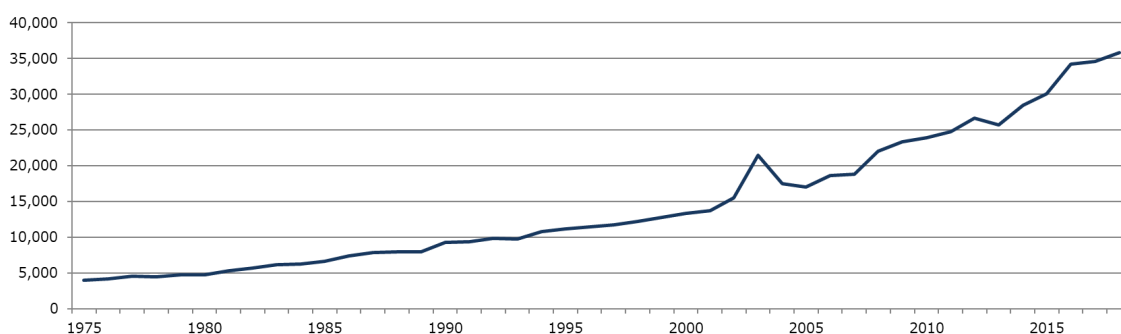
悪性リンパ腫の患者数、市場規模、治療薬

悪性リンパ腫の罹患数

国立がん研究センターがん対策情報センター「がん登録・統計」の罹患データによれば、国内における2017年の悪性リンパ腫の罹患数（一定の期間に新たにがんと診断された数）は35,782人（前年比3.5%増、過去10年の年平均増加率4.9%）であった。そのうち、60歳以上の高齢者が29,156人（前年比4.6%増）と全罹患数の81.5%（前年は80.7%）を占めた。

全部位のがん罹患数980,856人（前年比0.4%増）のなかに占める悪性リンパ腫罹患数の比率は3.6%（前年は3.5%）に留まるが、高齢者の人口増加により増加傾向にあり、患者数は2008年から2018年の間に62.1%増加し、同期間における全部位罹患数の増加率30.8%を上回った。

悪性リンパ腫の罹患数推移



悪性リンパ腫の罹患数推移	1975年	1980年	1985年	1990年	1995年	2000年	2005年	2010年	2015年
罹患数（人）	4,013	4,741	6,635	9,297	11,195	13,307	16,991	23,919	30,103
罹患率（人、対人口10万人）	3.6	4.1	5.5	7.5	8.9	10.5	13.3	18.7	23.7

出所：国立がん研究センターがん対策情報センターのデータをもとにSR社作成

トレアキシン®の対象患者数および市場

国内で販売している再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫・マンテル細胞リンパ腫の患者数は9,336人、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テル細胞リンパ腫の患者数は6,967人（同社推計）である。2018年12月期の売上高（薬価ベース）は8,500百万円（2017年12月期は7,600百万円）であった。

また、再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫の患者数は18,672人（同社推計）である。

トレアキシン®の適応症および患者数

適応症	患者数（人）	進捗	備考
再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫	9,336	承認取得済	売上8,500百万円 (2018年12月期)
再発・難治性マンテル細胞リンパ腫			
未治療低悪性度非ホジキンリンパ腫	承認取得済		
未治療マンテル細胞リンパ腫			
慢性リンパ性白血病	656	承認取得済	
再発・難治性中高悪性度非ホジキンリンパ腫	18,672	臨床試験実施中	-

出所：会社資料よりSR社作成

*売上高は薬価ベース

トレアキシン®の競合薬

トレアキシン®の競合薬としては、リツキシマブ、イブリツモマブチウキセタンなどがあった。同社は、それら先行医薬品に対してトレアキシン®との併用により有効性が上昇することを証明する開発方針を選択して成功した。

リツキシマブ（商品名：リツキサン®）

米国のアイデック社（米国、IDEC Pharmaceuticals, Corp.、現Biogen Idec, Inc.）とジェネンテック社（米国、Genentech, inc.）により共同開発され、悪性リンパ腫治療薬としては世界初のモノクローナル抗体として、1997年11月に米国で承認された。マウスの抗体の一部とヒトの抗体であるIgGで構成されている。ヒトB細胞表面に発現するCD20抗原に結合し、補体依存性細胞傷害作用、抗体依存性細胞介在性細胞傷害作用により、抗腫瘍効果を示す（出所：中外製薬社、全薬工業株式会社資料よりSR社）。

日本国内において、2001年9月より全薬工業株式会社と中外製薬社が共同販売している。

イブリツモマブチウキセタン（商品名：ゼヴァリン®）

リツキサン®と同様にB細胞のCD20分子をターゲットにした抗体製剤である。抗体と放射性元素を結合させ、標的となったB細胞に細胞単位で放射線を照射する。放射性元素を扱うことから、放射線を扱える限られた医療機関でしか治療を受けられない。

難治性の悪性リンパ腫（低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫）の治療薬として、2008年1月に国内で承認され、2008年8月に発売。日本では富士フイルム富山化学株式会社（富士フイルム株式会社（東証PRM 4901）の子会社）が販売している。

骨髄異形成症候群（MDS）の患者数、治療薬

MDSの推定患者数は11,000人

骨髄異形成症候群は60歳以上の高齢者に高率で認められる疾患である。日本における正確なデータはないが、厚生労働省の調査において、総患者数は2008年で9,000人、死亡数は2008年で2,781人であった。

人口の高齢化に伴い患者数が増加し、同社によれば、2014年現在の日本におけるMDS患者数は11,000人程度と推定されるという。患者数が増加しているにもかかわらず、これまでこれといった治療法がなかった。

リコセルチブの適応症及び患者数

適応症	患者数
低リスクMDS	7800
高リスクMDS	3200

出所：会社資料よりSR社作成

過去の業績

2024年12月期第3四半期累計期間実績（2024年10月31日発表）

- 売上高：1,898百万円（前年同期比57.1%減）
研究開発費：2,493百万円（同36.7%増）
- 営業損失：2,791百万円（前年同期は283百万円の損失）
- 経常損失：2,760百万円（同156百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：2,845百万円（同789百万円の損失）

2021年1月に販売を開始したトレアキシン®点滴静注液剤100mg/4mL [RTD (Ready-To-Dilute) 製剤] の投与時間を10分間に短縮することを可能とする迅速静注投与 [RI (Rapid Infusion) 投与] について、2022年2月に一変承認を取得した。RTD製剤は従来の凍結乾燥製剤（FD製剤）と比較し、手動による煩雑な溶解作業に要する時間を短縮することができる。RI投与により投与時間が1時間のRTD製剤に対して短縮されるため、患者および医療従事者の負担を低減することが可能となった。これに伴い、輸液量も少なくなることから塩分量が軽減できた。

トレアキシン®FD製剤からトレアキシン®RTD製剤への切り替えは納入がほぼ完了した。2024年9月末時点で90%を超える医療施設でRI投与への切り替えが進み患者への投与が行われた。

売上高は1,898百万円（前年同期比57.1%減）となった。後発品の浸食は少しずつ進行し、影響を受けた。一方で、コロナ禍により継続していた症例当たり薬剤使用量の減少傾向は少しずつ緩和されてきた。血液腫瘍患者、特に悪性リンパ腫患者への感染リスクの増大と、ベンダムスチン治療中もしくは治療後に感染の遷延や重症化を引き起こす可能性が懸念され、後発医薬品を含むベンダムスチンの処方低下していた。

- トレアキシン®RTD製剤は、2024年4月の薬価改定において新薬創出加算の対象から外れたため、18.6%の薬価引き下げを受けた。薬価改定幅は事前に公表されるため、高い旧薬価のトレアキシン®RTD製剤の在庫をできるだけ使い切り、安い新薬価の同製品を購入しようとする在庫調整の動きが、当第1四半期（2024年1-3月）に医療機関と医薬品卸の両方で顕著になった。当第2四半期（2024年4-6月）以降は、在庫調整が終了して、当第1四半期との比較で売上高が回復した。
- 2024年9月、同社と東和薬品株式会社との特許権侵害訴訟に関して和解が成立した（詳細は後述のトピックスを参照）。

利益面では、売上総利益は1,444百万円（同58.5%減）、売上総利益率は76.1%（同2.5%ポイント低下）となった。販費及び一般管理費は4,235百万円（同12.7%増）（うち研究開発費は2,493百万円（同36.7%増））となった。これらの結果、営業損失は2,791百万円（前年同期は283百万円の営業損失）となった。

2024年12月通期会社予想に対する進捗率

同社は、2024年5月に2024年12月期通期会社予想の減額修正を公表済みである（詳細は後述の「今期会社予想」を参照）。修正後の通期会社予想に対する当第3四半期累計期間実績の進捗率は、売上高が72.4%であり、利益項目はマイナスのため進捗率はない。営業損失は2,791百万円（通期予想は3,702百万円の損失）、経常損失2,760百万円（通期予想は3,524百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失2,845百万円（通期予想は3,628百万円の損失）である。

同社は、修正後の会社予想に対して計画通りに進んでいると考えており、通期予想を継続した。

事業の進捗概況

2024年11月時点までの、主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- 2024年11月、同社は新しい副社長執行役員兼グローバルCMOを選任し、同副社長が米国子会社SPUのSenior Vice President（上席副社長）も兼任した。
- 2024年10月、ID Week 2024（米国感染症学会週間）において、BCVのアデノウイルス（AdV）感染症第IIa相臨床試験の詳細データのうち、血中AdVの消失と臨床症状改善との関連性が、追加で報告された。

- ▶ 2024年9月、同社と東和薬品株式会社との特許権侵害訴訟に関して和解が成立した（詳細は後述のトピックスを参照）。
- ▶ 2024年8月、同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第Ⅰb/Ⅱ相臨床試験を開始した。
- ▶ 2024年7月、同社は、BCVがポリオーマウイルスの感染性ウイルス産生を抑制したと発表した。米国ペンシルベニア州立大学医学部が、ポリオーマウイルス感染マウスモデルを用いて検証し、同研究成果を論文発表した。
- ▶ 2024年6月、BCVの末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する抗腫瘍効果がマウスモデルで確認され、第29回欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）においてその研究成果が発表された。
- ▶ 2024年6月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第Ⅱa相臨床試験において、第1例目の患者登録が完了した（FPI）。
- ▶ 2024年5月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第Ⅱa相臨床試験が開始された。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。
- ▶ 2024年4月、リゴセルチブのライセンサー（導入元）であるオンコノバ社は、経営統合により新会社Traws Pharma, Inc.を設立した。
- ▶ 2024年4月、米国子会社（SPU）のCEO兼社長が、Stephane Berthier（ステファン・ベルティエ）氏から、John Houghton（ジョン・ホートン）氏に交代した。
- ▶ 2024年4月、同社とシンガポール国立がんセンター（NCCS）との共同研究の成果として、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）において、B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が発表された。
- ▶ 2024年3月、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を取得した。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、欧州血液骨髄移植学会年次総会でOral Sessionに選出された。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、2024 Tandem MeetingsにおけるPediatric Best Abstractsセッションの演題（小児医療での優良演題）に選ばれた。便中のAdVに対する抗ウイルス効果に関するデータが追加発表された。
- ▶ 2024年1月、BCV注射剤のアデノウイルス（AdV）感染症に対する用途特許を日本で取得した。

研究開発活動

当第3四半期における主な進捗は、2024年8月、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第Ⅰb相臨床試験を開始したことである。同試験は、BCVのがん領域で最初となる臨床試験である（移植後感染症領域では、2021年8月には臨床試験の第1例目に投与した）。

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

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、BCV IVおよびBCV Oral）の事業展開については、dsDNAウイルスに対するその広範な活性を有することから、国内および海外の専門領域の有力な研究施設と共同研究を進めている。同社は研究成果である科学的知見をもとに、グローバルでの臨床試験を検討、実施していく。

キメリックス・インク社（米国、以下、キメリックス社）による欧米における臨床試験において、すでにBCV Oralが各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性を有することが示されている。BCV IVにおいては造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を始めとする多くのdsDNAウイルスによる感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待されている。キメリックス社は、BCV Oralについて、2021年6月に天然痘対策として米国食品医薬品局（FDA）から承認を取得した。

移植後感染症領域

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症）

BCV IV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播種性アデノウイルス（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同社は決定した。2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にIND（治験許可申請）を行った。この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（Fast track）指定を受けており、2021年8月には第1例目の投与を開始した。2023年5月、同試験において、BCVがヒトPOCを確立した。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会において、当試験の有効性を示すポジティブ・データが口頭発表された。2024年2月の米国 2024 Tandem Meetingsや2024年4月の第50回欧州血液骨髄移植学会年次総会（50th Annual Meeting of the EBMT）、米国感染症学会週間（IDWeek2024）等の主要学会において口頭発表された。2024年1月、アデノウイルス感染および感染症の治療に関するBCVの用途特許が日本で成立し登録された。

- ✓ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた
- ✓ コホート1～3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス（CMV）感染症）

2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス（CMV）感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年6月、第1例目の登録が行われ同試験が進行中である。

- ▶ サイトメガロウイルス（CMV）感染症はアデノウイルス（AdV）感染症に比較して患者数が多いため、患者登録は順調に推移しているとのことである。
- ▶ 武田薬品工業の競合薬マリバビル（製品名：LIVTENCITY）の2024年3月期における売上高は、19,100百万円だった。移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業が競合薬マリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくという。

BCVの臨床開発（腎移植後のBKウイルス感染症）

腎移植後のBKウイルス感染症の開発は、現在プロトコルの修正の検討を行っている。2022年8月、オーストラリアで国際共同第II相臨床試験の第1例目の投与（FPD）を開始したが、症例集積が遅れていた。

BCVの非臨床試験（ポリオーマウイルス感染症）

ポリオーマウイルス、特にJCウイルス（JCV）は、dsDNAウイルスの中でも脳に重篤な疾患を引き起こすことが知られており、有効な治療薬の開発が待たれている。2022年11月、同社は米国ペンシルバニア州立大学医学部との間で試料提供契約（MTA：Material Transfer Agreement）を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証する非臨床試験を開始した。2024年7月、同研究成果の第一報として、新たな知見がmBio誌に公表された。

血液腫瘍領域

BCVの非臨床共同研究（血液腫瘍・がん領域への応用）

プリンシドフォビルは抗ウイルス作用に加え、同社は抗腫瘍効果も期待している。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、EBウイルス陽性リンパ腫、難治性脳腫瘍等、がん領域における新規適応症の探索を行うとしている。2022年3月には米国ブラウン大学との共同研究において、サイトメガロウイルス（CMV）感染症の膠芽腫（GBM）に対する抗腫瘍効果を検討する共同研究を開始した。

2022年12月、進行の早いNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの治療効果に関するNCCSとの共同研究成果について、第64回米国血液学会年次総会（The 64th American Society of Hematology（ASH）Annual Meeting）において口頭発表に採択さ

れ、発表された。

- ▶ BCVは副作用としての骨髄抑制を示さないため、当社では「がん細胞を選択的に死滅させ、正常細胞には影響を与えない、選択的効果」を期待している。

2023年6月、第17回国際悪性リンパ腫会議（17th International Conference on Malignant Lymphoma: ICML）でBCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカー*に関する研究成果が発表された。2024年4月、米がん学会（AACR Annual Meeting 2024）でB細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。2024年6月、欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）において、抹消性T細胞リンパ腫（PTCL）に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。

*有効性が高い患者（レスポnder）を予測して選択できるため、通常は治験成功（POC）の確率が上昇しやすい。

BCVの臨床開発（血液腫瘍・がん領域への応用）

2024年8月、がん領域におけるBCVのFIH（First in Human）試験として、悪性リンパ腫患者を対象とした国際共同第1b相臨床試験を開始した。同試験はBCVのがん領域におけるヒトPOCを確立することを目的としている。

- ▶ 同試験は、アデノウイルス（AdV）感染症、サイトメガロウイルス（CMV）感染症に次いで、BCVの3番目となる臨床試験であり、がん領域としてはBCV最初の臨床試験である。

その他の領域

BCVの非臨床試験（EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患）

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurological Disorders and Stroke：NINDS）との間で、共同研究試料提供契約（Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials）を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約（CRADA：Cooperative Research and Development Agreement）を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACRIMS合同学会（9th Joint ECTRIMS-ACRIMS Meeting）において発表された。

CRADA：米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという（同社は日本企業としては2社目）。

2023年4月には、米国国立衛生研究所に所属する国立アレルギー・感染症研究所（NIAID：National Institute of Allergy and Infectious Diseases）との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患*に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約（CRADA）を締結した。

*T細胞リンパ腫、パーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。（出所：同社第18期定時株主総会資料）

BCVの非臨床共同研究（単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症）

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス（HSV）が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマー型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

権利関係

2022年9月、キメリックス社はエマージェント・バイオソリューションズ社（本社：米国メリーランド州）へのプリンシドフォビルに関する権利の譲渡手続きの完了を発表したが、同社の取得したプリンシドフォビルに関する天然痘・

エムボックス（サル痘）を含むオルソボ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全世界での独占的開発・製造・販売権に対する影響はない。

BCVのオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定

2024年3月、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、エマージェント・パイオソリューションズ社から同社子会社へ移管された。

BCVの用途特許とIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社は2024年12月期上期決算説明会において、BCVの用途特許の成立と今後のIP（知財）戦略について説明した。

- ▶ BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はそのデータをもとに用途特許を出願した。
- ▶ アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4か月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。
- ▶ 同社は、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指す。
- ▶ 同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるといふ。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が可能と同社は考えている。

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だといふ。

抗がん剤SyB L-0501（FD製剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI投与）（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、商品名：トレアキシン®）

トレアキシン®に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。

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））

同社はリゴセルチブとトレアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社（Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州）に社名を変更した。

海外事業（SPU）

100%出資の米国子会社シンバイオフーマUSA（以下、SPU）は、抗ウイルス薬BCVのグローバル事業を牽引する戦略的拠点として、欧米日英の開発を加速させる。

- ▶ 2024年11月、同社はジェイ・マーシャル・ファインゴールド（Jay Marshall Feingold）医学博士を副社長執行役員兼グローバルCMOとして選任した。同副社長がSPUのSenior Vice President（上席副社長）も兼任する。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬BCVのグローバル開発を推進するとともに、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施する。他社品の導入を通じて、中長期的な事業価値の創造を目指す。

- ▶ 同社は、当第3四半期に日本市場向け新規ライセンス導入の可能性について言及済みであったが、同期間内でのリリース発表はなかった。

トピックス

2024年9月、同社と東和薬品株式会社との特許権侵害訴訟に関して和解が成立した。経緯としては以下のとおりである。

- 2022年2月、同社製品トリアキシン®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社が取得し、うち2社が2022年に後発医薬品の販売を開始した。その後、2社がRI（急速静注）の承認を得て販売を開始した
 - 2022年12月、ライセンス元であるイーグル社と同社は共同で、ファイザー株式会社と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めおよび損害賠償請求訴訟を提起した
 - 東和薬品株式会社に対する裁判は2024年9月に和解が成立した。ファイザー株式会社に対する裁判は続いている。なお、2024年10月時点で、3社が後発医薬品を販売している
- ▶ 東和薬品のリリースによると、東和薬品は和解成立後も同製品の販売を継続することであり、業績への影響は軽微としている。

2024年12月期第2四半期累計期間実績（2024年8月1日発表）

- 売上高：1,284百万円（前年同期比59.6%減）
研究開発費：1,532百万円（同27.2%増）
- 営業損失：1,719百万円（前年同期は50百万円の営業損失）
- 経常損失：1,481百万円（前年同期は67百万円の経常利益）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：1,541百万円（前年同期は80百万円の四半期純損失）

2021年1月に販売を開始したトリアキシン®点滴静注液剤100mg/4mL [RTD（Ready-To-Dilute）製剤]の投与時間を10分間に短縮することを可能とする迅速静注投与 [RI（Rapid Infusion）投与]について、2022年2月に一変承認を取得した。RTD製剤は従来の凍結乾燥製剤（FD製剤）と比較し、手動による煩雑な溶解作業に要する時間を短縮することができる。RI投与により投与時間が1時間のRTD製剤に対して短縮されるため、患者および医療従事者の負担を低減することが可能となった。これに伴い、輸液量も少なくなることから塩分量が軽減できた。

トリアキシン®FD製剤からトリアキシン®RTD製剤への切り替えは納入がほぼ完了した。2024年6月末時点で90%を超える医療施設でRI投与への切り替えが進み患者への投与が行われた。

売上高は1,284百万円（前年同期比59.6%減）となった。コロナ禍により継続していた症例当たり薬剤使用量の減少傾向は少しずつ緩和されてきた。血液腫瘍患者、特に悪性リンパ腫患者への感染リスクの増大と、バンダムスチン治療中もしくは治療後に感染の遷延や重症化を引き起こす可能性が懸念され、後発医薬品を含むバンダムスチンの処方が低下していた。一方で、後発品の浸食は少しずつ進行し、影響を受けた。

- ▶ トリアキシン®RTD製剤は、2024年4月の薬価改定において新薬創出加算の対象から外れたため、18.6%の薬価引き下げを受けた。薬価改定幅は事前に公表されるため、高い旧薬価のトリアキシン®RTD製剤の在庫をできるだけ使い切り、安い新薬価の同製品を購入しようとする在庫調整の動きが、当第1四半期（2024年1-3月）に医療機関と医薬品卸の両方で顕著になった。当第2四半期（2024年4-6月）は、在庫調整が終了して、当第1四半期との比較で売上高が回復した。
- ▶ 後発品への切り替えは、当上期末時点で60%弱に達したと同社は推定している。一方で、後発品を含むバンダムスチン全体の市場（同社トリアキシンと後発品を合計した市場）は、縮小傾向から下げ止まりに向かいつつある模様である。
- ▶ トリアキシン®RTD製剤に関する特許権侵害訴訟は継続中であり、同社では2024年内に終了すると予想している。

利益面では、売上総利益は996百万円（同59.7%減）、売上総利益率は77.6%（同0.2%ポイント低下）となった。販費及び一般管理費は2,716百万円（同7.6%増）（うち研究開発費は1,532百万円（同27.2%増））となった。これらの結果、営業損失は1,719百万円（前年同期は50百万円の営業損失）となった。

- ▶ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は1,184百万円（同10.2%減）となった。従業員数は、2023年12月末時点では前期比13名減少した。人件費の低下も費用減少の理由である。
- ▶ 研究開発費が前年同期比27.2%増加した理由は、同社の治験が順調に進展して予算消化されていることに加え、円安影響によって海外での治験費用などが円ベースで上昇していることが背景にある。

2024年12月通期会社予想に対する進捗率

同社は、2024年5月に2024年12月期通期会社予想の減額修正を発表済みである（詳細は後述の「今期会社予想」を参照）。修正後の通期会社予想に対する当上期実績の進捗率は、売上が49.0%であり、利益項目はマイナスのため進捗率はない。営業損失は1,719百万円（通期予想は3,702百万円の損失）、経常損失1,481百万円（通期予想は3,524百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失1,541百万円（通期予想は3,628百万円の損失）である。

同社は、修正後の会社予想に対して計画通りに進んでいると考えており、通期予想を継続した。

事業の進捗概況

2024年8月時点までの、主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▶ 2024年7月、同社は、BCVがポリオーマウイルスの感染性ウイルス産生を抑制したと発表した。米国ペンシルベニア州立大学医学部が、ポリオーマウイルス感染マウスモデルを用いて検証し、同研究成果を論文発表した。
- ▶ 2024年6月、BCVの末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する抗腫瘍効果がマウスモデルで確認され、第29回欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）においてその研究成果が発表された。
- ▶ 2024年6月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験において、第1例目の患者登録が完了した（FPI）。
- ▶ 2024年5月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験が開始された。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。
- ▶ 2024年4月、リゴセルチブのライセンサー（導入元）であるオンコノバ社は、経営統合により新会社Traws Pharma, Inc.を設立した。
- ▶ 2024年4月、米国子会社（SPU）のCEO兼社長が、Stephane Berthier（ステファン・ベルティエ）氏から、John Houghton（ジョン・ホートン）氏に交代した。
- ▶ 2024年4月、同社とシンガポール国立がんセンター（NCSS）との共同研究の成果として、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）において、B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が発表された。
- ▶ 2024年3月、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を取得した。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、欧州血液骨髄移植学会年次総会でOral Sessionに選出された。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、2024 Tandem MeetingsにおけるPediatric Best Abstractsセッションの演題（小児医療での優良演題）に選ばれた。便中のAdVに対する抗ウイルス効果に関するデータが追加発表された。
- ▶ 2024年1月、BCV注射剤のアデノウイルス（AdV）感染症に対する用途特許を日本で取得した。

研究開発活動

当第2四半期（2024年4-6月）以降の研究開発の進捗は、上記の「事業の進捗状況」4月以降を参照。このうち、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験が2024年5月に開始され、2024年6月に第1例目の患者登録（FPI）が完了したことが最大のイベントであった。

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

抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの注射剤及び経口剤（SyB V-1901、以下、BCV IVおよびBCV Oral）の事業展開については、dsDNAウイルスに対するその広範な活性を有することから、国内および海外の専門領域の有力な研究施設と共同研究を進めている。同社は研究成果である科学的知見をもとに、グローバルでの臨床試験を検討、実施していく。

キメリックス・インク社（米国、以下、キメリックス社）による欧米における臨床試験において、すでにBCV Oralが各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性を有することが示されている。BCV IVにおいては造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を始めとする多くのdsDNAウイルスによる感染症の予防および治療に対する有効性と安全

性が期待されている。キメリックス社は、BCV Oralについて、2021年6月に天然痘対策として米国食品医薬品局（FDA）から承認を取得した。

移植後感染症領域

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症）

BCV IV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播種性アデノウイルス（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同社は決定した。2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にIND（治験許可申請）を行った。この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（Fast track）指定を受けており、2021年8月には第1例目の投与を開始した。2023年5月、同試験において、BCVがヒトPOCを確立した。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会において、当試験の有効性を示すポジティブ・データが口頭発表された。2024年2月の米国 2024 Tandem Meetingsや2024年4月の第50回欧州血液骨髄移植学会年次総会（50th Annual Meeting of the EBMT）等の主要学会において口頭発表された。2024年1月、アデノウイルス感染および感染症の治療に関するBCVの用途特許が日本で成立し登録された。

- ▶ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた。
- ▶ コホート1～3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された。
- ▶ 同社は、BCVのPOCが確立した2023年を「事業の転換点」と位置付けている。トレアキシン®FD製剤の売上高が減収となる一方で、BCVの将来価値が階段状に非連続に上昇したと同社は考えている。

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス（CMV）感染症）

2024年5月、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症を対象に、米国で第IIa相臨床試験が開始された。2024年6月、第1例目の登録が行われ同試験が進行中である。

- ▶ 同試験の進捗が、当第2四半期（2024年4-6月）における最大のイベントである。
- ▶ 武田薬品工業の競合薬マリバビル（製品名：LIVTENCITY）の2024年3月期における売上高は、19,100百万円だった。移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性の対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業が競合薬マリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくという。

BCVの臨床開発（腎移植後のBKウイルス感染症）

腎移植後のBKウイルス感染症は腎機能低下や移植腎の喪失（グラフトロス）など深刻な経過を辿ることがあり、レシピエント、ドナー、医療者、社会にとって深刻な結果を招く疾患である。この問題を早期に解決するため、同社は2022年5月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に、2022年8月にはオーストラリア保健省薬品・医薬品行政局（Therapeutic Goods Administration：TGA）に腎移植後のBKウイルス感染症患者を対象とした国際共同第II相臨床試験の治験計画書を提出した。2022年8月にはオーストラリアにおける第1例目の投与（FPD）を開始した。同試験は2025年の終了を計画していたが、計画に対して症例集積に遅れが生じたことから、再度プロトコルの修正の検討を行う。

BCVの非臨床試験（ポリオーマウイルス感染症）

ポリオーマウイルス、特にJCウイルス（JCV）は、dsDNAウイルスの中でも脳に重篤な疾患を引き起こすことが知られており、有効な治療薬の開発が待たれている。2022年11月、同社は米国ペンシルバニア州立大学医学部との間で試料提供契約（MTA：Material Transfer Agreement）を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証する非臨床試験を開始した。2024年7月、同研究成果の第一報として、新たな知見がmBio誌に公表された。

血液腫瘍領域

BCVの非臨床共同研究（血液腫瘍・がん領域への応用）

プリンシドフォビルは抗ウイルス作用に加え、同社は抗腫瘍効果も期待している。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、EBウイルス陽性リンパ腫、難治性脳腫瘍等、がん領域における新規適応症の探索を行うとしている。2022年3月には米国ブラウン大学との共同研究において、サイトメガロウイルス（CMV）感染症の膠芽腫（GBM）に対する抗腫瘍効果を検討する共同研究を開始した。

2022年12月、進行の早いNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの治療効果に関するNCCSとの共同研究成果について、第64回米国血液学会年次総会（The 64th American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting）において口頭発表に採択され、発表された。

- ▶ 2024年12月期上期決算説明会において、同社はNK/T細胞リンパ腫について、日本において同社が主体となる第1b相臨床試験を開始する可能性について言及した。
- ▶ BCVは副作用としての骨髄抑制を示さないため、同社では「がん細胞を選択的に死滅させ、正常細胞には影響を与えない、選択的効果」を期待している。

2023年6月、第17回国際悪性リンパ腫会議（17th International Conference on Malignant Lymphoma: ICML）でBCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカー*に関する研究成果が発表された。2024年4月、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）でB細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。2024年6月、欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）において、抹消性T細胞リンパ腫（PTCL）に対するBCVの抗腫瘍効果がポスター発表された。

*有効性が高い患者（レスポnder）を予測して選択できるため、通常は治験成功（POC）の確率が上昇しやすい。

その他の領域

BCVの非臨床試験（EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患）

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurological Disorders and Stroke：NINDS）との間で、共同研究試料提供契約（Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials）を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約（CRADA：Cooperative Research and Development Agreement）を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会（9th Joint ECTRIMS-ACTRIMS Meeting）において発表された。

CRADA：米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという（同社は日本企業としては2社目）。

2023年4月には、米国国立衛生研究所に所属する国立アレルギー・感染症研究所（NIAID：National Institute of Allergy and Infectious Diseases）との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約（CRADA）を締結した。

*T細胞リンパ腫、バーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。（出所：同社第18期定時株主総会資料）

BCVの非臨床共同研究（単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症）

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス（HSV）が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマ

一型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

権利関係

2022年9月、キメリックス社はエマージェント・バイオソリューションズ社（本社：米国メリーランド州）へのプリンシドフォビルに関する権利の譲渡手続きの完了を発表したが、同社の取得したプリンシドフォビルに関する天然痘・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全世界での独占的開発・製造・販売権に対する影響はない。

BCVのオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定

2024年3月、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、エマージェント・バイオソリューションズ社から同社子会社へ移管された。

BCVの用途特許とIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社は2024年12月期上期決算説明会において、BCVの用途特許の成立と今後のIP（知財）戦略について説明した。

- ▶ BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はそのデータをもとに用途特許を出願した。
- ▶ アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4か月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。
- ▶ 同社は、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指す。
- ▶ 同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるといふ。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が可能と同社は考えている。

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だといふ。

抗がん剤SyB L-0501（FD製剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI投与）（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、商品名：トリアキシン®）

トリアキシン®に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。

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））

同社はリゴセルチブとトリアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社（Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州）に社名を変更した。

海外事業（SPU）

100%出資の米国子会社シンバイオフーマUSA（以下、SPU）は、2024年4月にジョン・ホートン（John Houghton）氏をシンバイオフーマUSA CEO兼社長に選任した。SPUは、抗ウイルス薬BCVのグローバル開発計画を推進する。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した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するとともに、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施する。

- ▶ 後述のトピックス2（2024年12月期のキーマイルストーン）を参照。同社は、当第3四半期に日本市場向け新規ライセンス導入の可能性について、言及済みである。

トピックス1（がん領域においてBCVの第1b相臨床試験を開始する可能性に言及）

2024年12月期上期決算説明会において、同社はNK/T細胞リンパ腫について、日本において同社が主体となる第1b相臨床試験を開始する可能性について言及した。

BCVの臨床試験は、現在アデノウイルス（AdV）感染症と造血幹細胞移植後のCMV感染症の2つが進行中である。NK/T細胞リンパ腫の臨床試験が開始されると、同社がBCVをがん領域で臨床開発する初めての展開となる。

トピックス2（2024年12月期のキーマイルストーン）

同社は2023年12月期通期決算説明会において、2024年12月期におけるBCVの開発目標を示した。このうち、サイトメガロウイルス（CMV）に関しては、会社想定どおりの2024年5月に第II相臨床試験を開始した（上記トピックス1参照）。

- 第2四半期：サイトメガロウイルス（CMV）に関して第II相臨床試験の開始
- 第4四半期：アデノウイルス（AdV）に関してグローバル第III相試験の開始

また事業開発に関しては、以下のように第3四半期に、新規導入品やパートナーリング交渉に関して進捗の可能性があるとの見方を示した。

- 第3四半期：日本市場向け新規ライセンス導入の可能性
- 第3四半期：BCVのパートナーリング交渉開始の可能性

非臨床試験の共同研究に関しては、2024年12月期の後半に進捗がある可能性を示した。このうちのいくつかについては、2025年12月期に臨床試験を開始できることを同社は期待している。

- 第3四半期：シンガポール国立がんセンターが研究結果報告の可能性
- 第3四半期：NIH/NINDSがMS*動物モデル実験結果報告の可能性（*多発性硬化症）
- 第4四半期：タフツ大学が共同開発結果報告の可能性

2024年12月期第1四半期実績（2024年5月7日発表）

- 売上高：598百万円（前年同期比61.3%減）
- 営業損失：807百万円（前年同期は51百万円の営業利益）
- 経常損失：727百万円（前年同期は48百万円の経常利益）
- 親会社株主に帰属する四半期純損失：777百万円（前年同期は4百万円の四半期純利益）

2021年1月に販売を開始したトレアキシン[®]点滴静注液剤100mg/4mL [RTD（Ready-To-Dilute）製剤]の投与時間を10分間に短縮することを可能とする迅速静注投与 [RI（Rapid Infusion）投与]について、2022年2月に一変承認を取得した。RTD製剤は従来の凍結乾燥製剤（FD製剤）と比較し、手動による煩雑な溶解作業に要する時間を短縮することができる。RI投与により投与時間が1時間のRTD製剤に対して短縮されるため、患者および医療従事者の負担を低減することが可能となった。これに伴い、輸液量も少なくなることから塩分量が軽減できた。

トレアキシン[®]FD製剤からトレアキシン[®]RTD製剤への切り替えは納入がほぼ完了した。2024年3月末時点で90%を超える医療施設でRI投与への切り替えが進み患者への投与が行われた。

売上高は598百万円（前年同期比61.3%減）となった。コロナ禍により継続する症例当たり薬剤使用量の減少傾向は継続している。血液腫瘍患者、特に悪性リンパ腫患者への感染リスクの増大と、ベンダムスチン治療中もしくは治療後に感染の遷延や重症化を引き起こす可能性が懸念され、後発医薬品を含むベンダムスチンの処方が低下していた。また、2024年4月の薬価改定前に、病院内の在庫絞り込みが進んだ影響を受けた。

- ▶ トレアキシン[®]RTD製剤は、2024年4月の薬価改定において新薬創出加算の対象から外れたため、18.6%の薬価引き下げを受けた（2023年4月の薬価中間改定では、3.5%の薬価引き下げだった）。薬価改定幅は事前に公表されるため、高い旧薬価のトレアキシン[®]RTD製剤の在庫をできるだけ使い切り、安い新薬価の同製品を購入しようとする在庫調整の動きが、医療機関と医薬品卸の両方で顕著になった模様である。
- ▶ 後発品への切り替えは同社の企業努力で一定数に抑制しているが、トレアキシン[®]RTD製剤の投与量は、悪性リンパ腫治療の医療現場では低下している。後発品を含むベンダムスチン全体の市場（同社トレアキシンと後発品を合計した市場）の縮小傾向が継続しているという。

- ▶ 悪性リンパ腫治療に限らず、全般的に抗がん剤治療などで免疫不全となったがん患者は、コロナウイルスを根絶できず、薬に強い耐性ウイルスが増加するケースが問題となっている（健常者であれば、生き残った一部のウイルスも最終的には体の免疫力で撃退できる）。そのため、コロナ禍以前の水準まで、同社トレアキシンと後発品を合計した市場が回復する可能性は低いと社は考えている。

利益面では、売上総利益は471百万円（前年同期比62.1%減）、売上総利益率は78.8%（同1.7%ポイント低下）となった。販費及び一般管理費は1,278百万円（同7.2%増）（うち研究開発費は691百万円（同25.7%増））となった。これらの結果、営業損失は807百万円（前年同期は51百万円の営業利益）となった。

- ▶ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は586百万円（同8.7%減）となった。従業員数は、2023年12月末時点では前期比13名減少した。人件費の低下も費用減少の理由である。
- ▶ 研究開発費が前年同期比25.7%増加した理由は、同社の治験が順調に進展して予算消化されていることに加え、円安影響によって海外での治験費用などが円ベースで上昇していることが背景にあるとのことである。

2024年12月通期会社予想を減額修正

同社は、当第1四半期の業績開示と同時に2024年12月通期会社予想の減額修正を発表した（詳細は後述の「今期会社予想」を参照）。

修正後の通期会社予想に対する当第1四半期実績の進捗率

修正後の通期会社予想に対する当第1四半期実績の進捗率は、売上が22.8%である。営業利益以下の利益項目は損失であるため進捗率はない。営業損益は、修正後の通期会社予想が3,702百万円の損失に対して、実績は807百万円の損失であった。当期純損益は、修正後の通期会社予想が3,628百万円の損失に対して、実績は777百万円の損失であった。

事業の進捗概況

2024年5月時点までの、主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▶ 2024年5月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第IIa相臨床試験が開始された。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。
- ▶ 2024年4月、リゴセルチブのライセンサー（導入元）であるオンコノバ社は、経営統合により新会社Traws Pharma, Inc.を設立した。
- ▶ 2024年4月、米国子会社（SPU）のCEO兼社長が、Stephane Berthier（ステファン・ベルティエ）氏から、John Houghton（ジョン・ホートン）氏に交代した。
- ▶ 2024年4月、同社とシンガポール国立がんセンター（NCCS）との共同研究の成果として、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）において、B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が発表された。
- ▶ 2024年3月、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を取得した。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、欧州血液骨髄移植学会年次総会でOral Sessionに選出された。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、2024 Tandem MeetingsにおけるPediatric Best Abstractsセッションの演題（小児医療での優良演題）に選ばれた。便中のAdVに対する抗ウイルス効果に関するデータが追加発表された。
- ▶ 2024年1月、BCV注射剤のアデノウイルス（AdV）感染症に対する用途特許を日本で取得した。

研究開発活動

抗ウイルス薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（ブリンシドフォビル）、以下BCV）

抗ウイルス薬ブリンシドフォビルの注射剤及び経口剤（SyB V-1901、以下、BCV IVおよびBCV Oral）の事業展開については、dsDNAウイルスに対するその広範な活性を有することから、国内および海外の専門領域の有力な研究施設と共

同研究を進めている。同社は研究成果である科学的知見をもとに、グローバルでの臨床試験を検討、実施していく。

BCVの多様性とキメリックス社との権利関係

キメリックス・インク社（米国、以下、キメリックス社）による欧米における臨床試験において、すでにBCV Oralが各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性を有することが示されている。BCV IVにおいては造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を始めとする多くのdsDNAウイルスによる感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待されている。キメリックス社は、BCV Oralについて、2021年6月に天然痘対策として米国食品医薬品局（FDA）から承認を取得した。

2022年9月、キメリックス社はエマージェント・バイオソリューションズ社（本社：米国メリーランド州）へのプリンシドフォビルに関する権利の譲渡手続きの完了を発表したが、同社の取得したプリンシドフォビルに関する天然痘・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全世界での独占的開発・製造・販売権に対する影響はないとのことである。

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症）

BCV IV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播種性アデノウイルス（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同社は決定した。

2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にIND（治験許可申請）を行った。この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（Fast track）指定を受けており、2021年8月には第1例目の投与を開始した。2023年5月、同試験において、BCVがヒトPOCを確立した。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会において、当試験の有効性を示すポジティブ・データが口頭発表された。2024年2月の米国 2024 Tandem Meetingsや2024年4月の第50回欧州血液骨髄移植学会年次総会（50th Annual Meeting of the EBMT）等の主要学会において口頭発表された。2024年1月、アデノウイルス感染および感染症の治療に関するBCVの用途特許が日本で成立し登録された。

- ▶ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた。
- ▶ コホート1~3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された。
- ▶ 同社は、BCVのPOCが確立した2023年を「事業の転換点」と位置付けている。トリアキシン®FD製剤の売上高が減収となる一方で、BCVの将来価値が階段状に非連続に上昇したと同社は考えている。

BCVの臨床開発（腎移植後のBKウイルス感染症）

腎移植後のBKウイルス感染症は腎機能低下や移植腎の喪失（グラフトロス）など深刻な経過を辿ることがあり、レシピエント、ドナー、医療者、社会にとって深刻な結果を招く疾患である。この問題を早期に解決するため、同社は2022年5月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に、2022年8月にはオーストラリア保健省薬品・医薬品行政局（Therapeutic Goods Administration：TGA）に腎移植後のBKウイルス感染症患者を対象とした国際共同第II相臨床試験の治験計画届を提出した。2022年8月にはオーストラリアにおける第1例目の投与（FPD）を開始した。同試験は2025年の終了を計画していたが、計画に対して症例集積に遅れが生じたことから、再度プロトコルの修正の検討を行う。

BCVの非臨床試験（EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患）

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurological Disorders and Stroke：NINDS）との間で、共同研究試料提供契約（Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials）を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約（CRADA：Cooperative Research and Development Agreement）を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会（9th Joint ECTRIMS-ACTRIMS Meeting）において発表された。

CRADA：米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという（同社は日本企業としては2社目）。

2023年4月には、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：National Institute of Allergy and Infectious Diseases）との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患*に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約（CRADA）を締結した。

*T細胞リンパ腫、パーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。（出所：同社第18期定時株主総会資料）

BCVの非臨床試験（ポリオーマウイルス）

2022年11月、同社は米国ペンシルバニア州立大学医学部との間で試料提供契約（MTA：Material Transfer Agreement）を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証する非臨床試験を開始した。

BCVの非臨床共同研究（単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症）

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス（HSV）が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマー型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

BCVの非臨床共同研究（血液腫瘍・がん領域への応用）

プリンシドフォビルは抗ウイルス作用に加え、同社は抗腫瘍効果も期待している。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、EBウイルス陽性リンパ腫、難治性脳腫瘍等、がん領域における新規適応症の探索を行うとしている。2022年3月には米国ブラウン大学との共同研究において、サイトメガロウイルス（CMV）感染症の膠芽腫（GBM）に対する抗腫瘍効果を検討する共同研究を開始した。

2022年12月、進行の早いNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの治療効果に関するNCCSとの共同研究成果について、第64回米国血液学会年次総会（The 64th American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting）において口頭発表に採択され、発表された。

2023年6月、第17回国際悪性リンパ腫会議（17th International Conference on Malignant Lymphoma: ICML）でBCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカーに関する研究成果が発表された。2024年4月、米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）でB細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が口頭発表された。

*有効性が高い患者（レスポナー）を予測して選択できるため、通常は治験成功POCの確率が上昇しやすい。

BCVのオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定

2024年3月、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、エマージェント・バイオソリューションズ社から同社子会社へ移管された。

BCVの用途特許とIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社は2023年12月通期決算説明会において、BCVの用途特許の成立と今後のIP（知財）戦略について説明した。

- ▶ BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はそのデータをもとに用途特許を出願した。
- ▶ アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4カ月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。

- ▶ 同社は、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指すという。
- ▶ 同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるといふ。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が可能と同社は考えている。

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だといふ。

抗がん剤SyB L-0501（FD製剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI投与）（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、商品名：トリアキシン®）

トリアキシン®FD製剤は、すでに承認を取得した適応症に加え、2021年3月にr/r DLBCLを対象とするBR療法承認を取得し、使用が可能となった。イーグル・ファーマシューティカルズ社（米国、以下、イーグル社）から導入したトリアキシン®RTD製剤は、2022年2月にRI投与の一変承認を取得した。これにより、RTD製剤のすべての適応症への投与方法として、RI投与が可能となった。

トリアキシン®に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。

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、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、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た。同社は日本における臨床開発を担当しており、今後のリゴセルチブ開発の検討を両社と協業して進める。

同社はリゴセルチブとトリアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。2024年4月、オンコノバ社はトラウスファーマ社（Traws Pharma Inc.、本社：米国ペンシルベニア州）に社名を変更した。

海外開発拠点（SPU/シンバイオフーマUSA）

100%出資の米国子会社シンバイオフーマUSA（以下、SPU）は、2024年4月にジョン・ホートン（John Houghton）氏をSPUのCEO兼社長として選任した。2023年9月には、Globalチーフ・メディカル・オフィサー（CMO）として、エヌケチ・アジエ医学博士（Nkechi Azie, MD）を同社の経営陣に迎え入れ、グローバル開発体制の拡充を行った。シンバイオフーマUSAは、抗ウイルス薬BCVのグローバル開発計画を推進する。

新規開発候補品の導入

同社は2019年9月に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォピルのグローバル開発を推進するとともに、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施する。

トピックス1（CMVの第Ⅱ相臨床試験の開始）

2024年5月、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第Ⅱa相臨床試験*が開始された。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。

（*：同試験は、AdV感染症の試験名と同一のATHENA試験の名称を使用する。このうち、AdV感染症は、コホート4までの投与が終了しPOCが確立した別途の試験である。）

移植領域におけるCMVの治療対象は、希少疾患領域の対象としては例外的に患者数が多い（計25千人、うち10千人が抵抗性・難治性対象患者数、うち10千人が抵抗性・難治性対象患者数）。メガファーマの武田薬品工業が競合薬マリバビルの自社開発を決定した理由の1つは、患者数の多さによる採算性であるとSR社では理解している。同社によると、患者数の多さは臨床開発における患者登録の容易さに結びつくといふ。

トピックス2 (2024年12月期のキーマイルストーン)

同社は2023年12月期通期決算説明会において、2024年12月期におけるBCVの開発目標を示した。このうち、サイトメガロウイルス (CMV) に関しては、会社想定どおりの2024年5月に第II相臨床試験を開始した (上記トピックス1参照)。

- 第2四半期：アデノウイルス (AdV) に関してFDA (米国) およびEMA (欧州) との治験相談
- 第2四半期：サイトメガロウイルス (CMV) に関して第II相臨床試験の開始
- 第4四半期：アデノウイルス (AdV) に関してグローバル第III相試験の開始

また事業開発に関しては、以下のように第3四半期に、新規導入品やパートナーリング交渉に関して進捗の可能性があるとの見方を示した。

- 第3四半期：日本市場向け新規ライセンス導入の可能性
- 第3四半期：BCVのパートナーリング交渉開始の可能性

非臨床試験の共同研究に関しては、2024年12月期の後半に進捗がある可能性を示した。このうちのいくつかについては、2025年12月期に臨床試験を開始できることを同社は期待している。

- 第3四半期：シンガポール国立がんセンターが研究結果報告の可能性
- 第3四半期：NIH/NINDSがMS*動物モデル実験結果報告の可能性 (*多発性硬化症)
- 第4四半期：タフツ大学が共同開発結果報告の可能性

2023年12月期通期実績 (2024年2月8日発表)

- 売上高：5,590百万円 (前期比44.1%減)
- 営業損失：812百万円 (前期は1,964百万円の営業利益)
- 経常損失：736百万円 (前期は2,000百万円の経常利益)
- 親会社株主に帰属する当期純損失：1,963百万円 (前期は1,179百万円の当期純利益)

2021年1月に販売を開始したトレアキシン®点滴静注液剤100mg/4mL [RTD (Ready-To-Dilute) 製剤] の投与時間を10分間に短縮することを可能とする迅速静注投与 [RI (Rapid Infusion) 投与] について、2022年2月に一変承認を取得した。RTD製剤は従来の凍結乾燥製剤 (FD製剤) と比較し、手動による煩雑な溶解作業に要する時間を短縮することができる。RI投与により投与時間が1時間のRTD製剤に対して短縮されるため、患者および医療従事者の負担を低減することが可能となった。これに伴い、輸液量も少なくなることから塩分量が軽減できる。

トレアキシン®FD製剤からトレアキシン®RTD製剤への切り替えは納入がほぼ完了した。2023年12月末時点で90%を超える医療施設でRI投与への切り替えが進み患者への投与が行われた。品質保証面では、トレアキシン®RTD製剤の安定供給体制を確立した。

売上高は5,590百万円 (前期比44.1%減) となった。コロナ禍により継続する症例当たり薬剤使用量の減少傾向、2022年6月に販売開始した後発医薬品の浸透などの影響を受けた。また、前年同期には、凍結乾燥製剤 (FD製剤) からRTD製剤への切替えに伴う流通在庫拡充とそれに起因する一時的な販売の上振れがあったことも影響した。血液腫瘍患者、特に悪性リンパ腫患者への感染リスクの増大と、ベンダムスチン治療中もしくは治療後に感染の遷延や重症化を引き起こす可能性が懸念され、後発医薬品を含むベンダムスチンの処方が低下していた。

- ▶ 売上高は前期比44.1%減となった。後発品への切り替えは同社の企業努力で一定数に抑制しているが、トレアキシン®RTD製剤の投与量は、悪性リンパ腫治療の医療現場では低下している。後発品を含むベンダムスチン全体の市場 (同社トレアキシンと後発品を合計した市場) が縮小したという。
- ▶ 悪性リンパ腫治療に限らず、全般的に抗がん剤治療などで免疫不全となったがん患者は、コロナウイルスを根絶できず、薬に強い耐性ウイルスが増加するケースが問題となっている (健常者であれば、生き残った一部のウイルスも最終的には体の免疫力で撃退できる)。そのため、コロナ禍以前の水準まで、同社トレアキシンと後発品を合計した市場が回復する可能性は低いと同社は考えている。
- ▶ トレアキシン®RTD製剤についての特許権侵害訴訟に対する東京地裁の見解が2024年初旬にかけて示される公算が大きい。判決が出れば、販売差止の判断と損害額の算定に進むと同社は想定していた。

利益面では、売上総利益は4,411百万円 (同42.0%減)、売上総利益率は78.9% (同3.0%ポイント上昇) となった。販費及び一般管理費は5,223百万円 (同7.3%減) (うち研究開発費は2,638百万円 (同3.3%増)) となった。これらの結

果、営業損失は812百万円（前年同期は1,964百万円の営業利益）となった。

- ▶ 研究開発費を除く販売費及び一般管理費は2,584百万円（同16.1%減）となった。従業員数は、2022年12月末時点で前期比19名減少し、2023年12月末時点では前期比13名減少した。人件費の低下も費用減少の理由である。
- ▶ 2023年12月期通期の売上総利益率は78.9%と、前期比3.0%ポイントの上昇となった。これは、前期第3四半期に一過性のマイルストーン支払い（550百万円）が発生したことの反動である。

2023年12月期通期会社予想（2023年11月に修正）に対する達成率

2023年11月、同社は2023年12月期通期会社予想の2回目の修正を発表した。修正後の2023年12月期通期会社予想に対する達成率は、売上高が99.8%、販売費及び一般管理費が97.0%であった。営業損益は、修正後の通期会社予想が680百万円の損失に対して、実績は812百万円の損失であった。当期純損益は、修正後の通期会社予想が1,291百万円の損失に対して、実績は1,963百万円の損失であった。

事業の進捗概況

2024年2月時点までの、主な事業の進捗概況は以下の通りであった。

- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、欧州血液骨髄移植学会年次総会でOral Sessionに選出された。
- ▶ 2024年2月、BCVが抗AdV効果を示すとの学会抄録が、2024 Tandem MeetingsにおけるPediatric Best Abstractsセッションの演題（小児医療での優良演題）に選ばれた。便中のAdVに対する抗ウイルス効果に関するデータが追加発表された。
- ▶ 2024年1月、BCV注射剤のアデノウイルス（AdV）感染症に対する用途特許を日本で取得した。
- ▶ 2023年11月、BCVのAdV（アデノウイルス）感染症を対象とした第II相臨床試験結果について公表した。2023年12月に第65回米国血液学会年次総会において、同結果が口頭発表された。
- ▶ 2023年10月、扁平上皮癌に対する抗がん剤リゴセルチブのデータに関して発表した。
- ▶ 2023年10月、BCVの多発性硬化症（MS）に関する共同研究の成果について公表した。
- ▶ 2023年10月、包括的株式発行プログラム（STEP）設定契約締結および第三者割当による新株式発行に関して発表した。
- ▶ 2023年8月、グローバルCMO（Chief Medical Officer）の交代に関して発表した。
- ▶ 2023年8月、注射剤BCV（プリンシドフォビル）のBKウイルス感染症に関する臨床開発計画の変更について発表した。
- ▶ 2023年7月、米国子会社（シンバイオファーマUSA、以下SPU）は、ステファン・ベルティエ薬学博士（Stephane Berthier, PharmD）をSPUのCEO兼社長として選任し、グローバル開発体制の拡充を行った。
- ▶ 2023年6月、BCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカー（TLE1/転写因子）に関する研究成果が発表された。
- ▶ 2023年5月、BCVのアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第II相臨床試験においてPOCが確立した。
- ▶ 2023年4月、同社は、BCVについて、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）との間で、エプスタイン・バール・ウイルス（EBV）疾患に対するBCVの治療効果を評価するための共同研究開発契約（CRADA）を締結した。
- ▶ 2023年3月、同社は、BCVについて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）と多発性硬化症に向けた共同研究開発契約（CRADA）を締結した。2022年8月から、既に同社とNINDSはEBウイルスに対するBCVの抗ウイルス作用の評価について共同研究を行っている。

自社販売体制の構築について

同社は、販売委託先であるエーザイ株式会社（以下、エーザイ）との事業提携契約が2020年12月に満了にともない、2020年12月には自社によるトリアキシン®販売体制へ移行した。

自社販売を行うことで、ニーズのくみ上げ、製品についての情報提供、セミナーの企画企画などを行える営業組織体制を確立した。医薬情報担当者に加え、専門性の高い「ヘマトロジー・エキスパート」を各地域に設置した。また、全国流通体制を確立するため株式会社スズケンおよび東邦薬品株式会社との間で2社を総代理店とする医薬品売買に関する取引基本契約を締結した。全国物流体制の構築については、株式会社エス・ディ・コ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た。

抗がん剤SyB L-0501（FD製剤）/SyB L-1701（RTD製剤）/SyB L-1702（RI投与）（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、商品名：トリアキシン®）

トリアキシン®FD製剤は、すでに承認を取得した適応症に加え、2021年3月にr/r DLBCLを対象とするBR療法承認を取得し、使用が可能となった。イーグル・ファーマシューティカルズ社（米国、以下、イーグル社）から導入したトリアキシン®RTD製剤は、2022年2月にRI投与の一変承認を取得した。これにより、RTD製剤のすべての適応症への投与方法として、RI投与が可能となった。

トリアキシン®に関しては、東京大学や京都大学との共同研究等に取り組み、新たな可能性を探索していく。

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、導入元であるオンコノバ・セラピューティクス社（以下、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た。同社は日本における臨床開発を担当しており、今後のリゴセルチブ開発の検討を両社と協業して進める。

同社はリゴセルチブとトリアキシン®に関して、東京大学との共同研究や社会連携講座の設置を通じ、両化合物また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う。

抗ウイルス薬 SyB V-1901（一般名：Brincidofovir（プリンシドフォビル）、以下BCV）

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、BCV IVおよびBCV Oral）の事業展開については、dsDNAウイルスに対するその広範な活性を有することから、国内および海外の専門領域の有力な研究施設と共同研究を進めている。同社は研究成果である科学的知見をもとに、グローバルでの臨床試験を検討、実施していく。

BCVの多様性とキメリックス社との権利関係

キメリックス・インク社（米国、以下、キメリックス社）による欧米における臨床試験において、すでにBCV Oralが各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性を有することが示されている。BCV IVにおいては造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を始めとする多くのdsDNAウイルスによる感染症の予防および治療に対する有効性と安全性が期待されている。キメリックス社は、BCV Oralについて、2021年6月に天然痘対策として米国食品医薬品局（FDA）から承認を取得した。

2022年9月、キメリックス社はエマージェント・バイオソリューションズ社（本社：米国メリーランド州）へのプリンシドフォビルに関する権利の譲渡手続きの完了を発表したが、同社の取得したプリンシドフォビルに関する天然痘・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全世界での独占的開発・製造・販売権に対する影響はないとのことである。

BCVの臨床開発（造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症）

BCV IV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播種性アデノウイルス（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同社は決定した。

2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にIND（治験許可申請）を行った。この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（Fast track）指定を受けており、2021年8月には第1例目の投与を開始し

た。2023年5月、同試験において、BCVがヒトPOCを確立した。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会において、当該試験の有効性を示すポジティブ・データが口頭発表された。2024年1月、アデノウイルス感染および感染症の治療に関するBCVの用途特許が日本で成立し登録された。

- ▶ POC確立は、治験データ独立安全性モニタリング委員会（DSMB）とFDAによる確認で行われ、安全性と有効性の両面が証明された。コホート3までの治験でPOC達成を確認できた。
- ▶ コホート1～3は、BCV週2回IV投与であり、投与量はコホート1（0.2mg/kg）、コホート2（0.3mg/kg）、コホート3（0.4mg/kg）。このうちコホート3（0.4mg/kg、週2回のIV）投与群において、血中AdV消失が100%（n=10）の患者に確認された。また、その中で90%（n=9）の患者は、治療後4週間以内の早期にウイルス消失が確認された。
- ▶ 学会発表は以下の通りである。2023年12月の第65回米国血液学会年次総会、2024年2月の米国2024年 Tandem Meeting、2024年2月の欧州骨髄移植学会。

BCVの臨床開発（腎移植後のBKウイルス感染症）

腎移植後のBKウイルス感染症は腎機能低下や移植腎の喪失（グラフトロス）など深刻な経過を辿ることがあり、レシピエント、ドナー、医療者、社会にとって深刻な結果を招く疾患である。この問題を早期に解決するため、同社は2022年5月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に、2022年8月にはオーストラリア保健省薬品・医薬品行政局（Therapeutic Goods Administration：TGA）に腎移植後のBKウイルス感染症患者を対象とした国際共同第II相臨床試験の治験計画書を提出した。2022年8月にはオーストラリアにおける第1例目の投与（FPD）を開始した。同試験は2025年の終了を計画していたが、計画に対して症例集積に遅れが生じたことから、再度プロトコルの修正の検討を行う。

BCVの非臨床試験（EBウイルス、多発性硬化症、関連リンパ増殖性疾患）

同社はEBウイルス関連疾患である難病の多発性硬化症について開発を視野に取り組んでいる。2022年8月には、米国国立衛生研究所（National Institute of Health：NIH）に所属する国立神経疾患・脳卒中研究所（National Institute of Neurological Disorders and Stroke：NINDS）との間で、共同研究試料提供契約（Collaboration Agreement for The Transfer of Human Materials）を締結した。2023年3月には、同NINDSとの間で、今後の臨床試験の実施に向けて必要となる情報を得ることを目的として、共同研究開発契約（CRADA：Cooperative Research and Development Agreement）を締結した。2023年10月には、その研究成果がイタリア・ミラノで開催された第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会（9th Joint ECTRIMS-ACTRIMS Meeting）において発表された。

CRADA：米国政府機関と民間企業等が研究開発に協力する際に締結される契約のこと。CRADAにより開発された発明に関して、民間企業等が特許権の使用許諾を得ることができる。政府予算を活用しながら民間企業が特許権を享受できるために、CRADAに選定されるためのハードルは高いという（同社は日本企業としては2社目）。

2023年4月には、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：National Institute of Allergy and Infectious Diseases）との間でEBウイルス関連リンパ増殖性疾患*に対するBCVの有効性を評価する共同研究開発契約（CRADA）を締結した。

*T細胞リンパ腫、バーキットリンパ腫、ホジキンリンパ腫、非ホジキンリンパ腫、NK/T細胞リンパ腫、などの癌種に加えて、移植後リンパ増殖性疾患、X連鎖リンパ増殖症候群、AIDS関連リンパ増殖性疾患などのEBウイルスに関連する広範囲の疾患を指す。（出所：同社第18期定時株主総会資料）

BCVの非臨床試験（ポリオーマウイルス）

2022年11月、同社は米国ペンシルバニア州立大学医学部との間で試料提供契約（MTA：Material Transfer Agreement）を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証する非臨床試験を開始した。

BCVの非臨床共同研究（単純ヘルペスウイルス、アルツハイマー型認知症）

2022年12月、同社は米国タフツ大学と、単純ヘルペスウイルス（HSV）が感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結し、共同研究を開始した。同研究では将来的に、アルツハイマー型認知症を含めた脳神経領域の疾患についての治療を視野に入れている。

BCVの非臨床共同研究（血液腫瘍・がん領域への応用）

布林シドフォビルは抗ウイルス作用に加え、同社は抗腫瘍効果も期待している。シンガポール国立がんセンターやカリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターとの共同研究等を通じて、EBウイルス陽性リンパ腫、難治性脳腫瘍等、がん領域における新規適応症の探索を行うとしている。2022年3月には米国ブラウン大学との共同研究において、サイトメガロウイルス（CMV）感染症の膠芽腫（GBM）に対する抗腫瘍効果を検討する共同研究を開始した。

2022年12月、進行の早いNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの治療効果に関するNCCSとの共同研究成果について、第64回米国血液学会年次総会（The 64th American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting）において口頭発表に採択され、発表された。

2023年6月、第17回国際悪性リンパ腫会議（17th International Conference on Malignant Lymphoma: ICML）でBCVの抗腫瘍効果を予測するバイオマーカー*（TLE1/転写因子）に関する研究成果が発表された。

*有効性が高い患者（レスポnder）を予測して選択できるため、通常は治験成功POCの確率が上昇しやすい。

BCVの用途特許とIP（知財）戦略（Pipeline Within A Molecule）

同社は2023年12月通期決算説明会において、BCVの用途特許の成立と今後のIP（知財）戦略について説明した。

- ▶ BCVは2023年5月にヒトPOCを確立し、同社はそのデータをもとに用途特許を出願した。
- ▶ アデノウイルス（AdV）感染症の治療に関するBCVの用途特許は、2023年9月に早期審査対象として出願され、4か月後の2024年1月には用途特許が成立した。同特許は、2043年まで有効であり特許保護される。
- ▶ 同社は、各種dsDNAウイルス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すること、ウイルス感染症との合併症疾患を病因とする空白の治療領域にも取り組むことで、BCVの事業価値の最大化を目指すという。
- ▶ 同社は、“Pipeline Within A Molecule”（一分子多適応）の考え方で、BCVのIP（知財）戦略を進めるという。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が可能と同社は考えている。

2030年までのBCVの開発において、同社は2つもしくは3つの適応症について承認取得と発売を目指す。承認取得の可能性が高いのは、臨床開発が先行する「造血幹細胞移植および臓器移植領域」における各種のウイルスの適応症だという。

海外開発拠点（SPU/シンバイオファーマUSA）

100%出資の米国子会社シンバイオファーマUSA（以下、SPU）は、2023年8月、ステファン・ベルティエ薬学博士（Stephane Berthier, PharmD）をSPUのCEO兼社長として選任した。2023年9月には、Globalチーフ・メディカル・オフィサー（CMO）として、エヌケチ・アジエ医学博士（Nkechi Azie, MD）を同社の経営陣に迎え入れ、グローバル開発体制の拡充を行った。シンバイオファーマUSAは、抗ウイルス薬BCVのグローバル開発計画を推進する。

新規開発候補品の導入

同社は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を推進するとともに、複数のライセンス案件の検討と新規開発候補品のライセンス権利取得に向けた探索評価を実施する。

トピックス（2024年12月期のキーマイルストーン）

同社は2023年12月期通期決算説明会において、2024年12月期におけるBCVの開発目標を示した。

- 第2四半期：アデノウイルス（AdV）に関してFDA（米国）およびEMA（欧州）との治験相談
- 第2四半期：サイトメガロウイルス（CMV）に関して第II相臨床試験の開始
- 第4四半期：アデノウイルス（AdV）に関してグローバル第III相試験の開始

また事業開発に関しては、以下のように第3四半期に、新規導入品やパートナーング交渉に関して進捗の可能性があるとの見方を示した。

- 第3四半期：日本市場向け新規ライセンス導入の可能性
- 第3四半期：BCVのパートナーリング交渉開始の可能性

非臨床試験の共同研究に関しては、2024年12月期の後半に進捗がある可能性を示した。このうちのいくつかについては、2025年12月期に臨床試験を開始できることを同社は期待している。

- 第3四半期：シンガポール国立がんセンターが研究結果報告の可能性
- 第3四半期：NIH/NINDSがMS*動物モデル実験結果報告の可能性（*多発性硬化症）
- 第4四半期：タフツ大学が共同開発結果報告の可能性

資金調達

2023年10月、同社は、包括的株式発行プログラム（STEP）設定契約締結および第三者割当による新株式（以下、同株式）を発行することを決議した。同プログラム（STEP）で新たに発行される同株式の数は、最大6,000千株であり、2023年6月末時点の同社発行済株式総数39,841千株を分母とする希薄化率は15.06%（議決権15.25%）となる。調達資金の額は2,184百万円（差し引手取り概算額）の予定である（詳細は「ニュース&トピックス」を参照）。

損益計算書

損益計算書 (百万円)	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期
	単独	単独	単独	単独	単独	単独	単独	連結	連結	連結
売上高	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987	8,257	10,008	5,590	2,453
前年比	-1.1%	22.5%	45.4%	11.4%	-26.0%	5.3%	176.4%	21.2%	-44.1%	-56.1%
売上原価	1,350	1,464	2,413	2,663	1,973	2,120	2,452	2,408	1,179	580
売上総利益	583	904	1,031	1,173	865	867	5,800	7,600	4,411	1,873
売上総利益率	30.2%	38.2%	29.9%	30.6%	30.5%	29.0%	70.2%	75.9%	78.9%	76.4%
販売費及び一般管理費	3,135	3,031	4,978	3,829	5,166	5,373	4,784	5,636	5,223	5,750
売上高販管費比率	162.1%	128.0%	144.5%	99.8%	182.1%	179.9%	57.9%	56.3%	93.4%	234.4%
営業利益	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506	1,016	1,964	-812	-3,877
前年比	-	-	-	-	-	-	-	93.3%	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	12.3%	19.6%	-	-
営業外収益	17	7	5	2	4	3	17	139	133	225
営業外費用	96	196	34	95	79	112	32	103	57	37
経常利益	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616	1,001	2,000	-736	-3,689
前年比	-	-	-	-	-	-	-	99.8%	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	12.1%	20.0%	-	-
特別利益	3	9	17	10	4	529	0	106	101	14
特別損失	1	1	15	10	-	-	-	-	561	132
法人税等	4	4	4	4	4	4	-1,031	927	767	27
税率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
当期純利益	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090	2,032	1,179	-1,963	-3,833
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-42.0%	-	-
利益率（マージン）	-	-	-	-	-	-	24.6%	11.8%	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

同社の損益計算書項目に関して、売上高から経常利益までの費用および各利益については「収益構造」の項参照。また、営業外損益、特別損益、法人税等について、2020年12月期の特別利益529百万円は受取和解金525百万円による。2021年12月期の法人税等1,031百万円は繰延税金資産1,276百万円の計上による。2023年12月期の特別損失561百万円は「固定資産の減損に係る会計基準」に基づく回収可能性を検討した結果による減損損失等による。

過去の会社予想と実績の差異

期初会社予想と実績 (百万円)	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期
	単独	単独	単独	単独	単独	単独	単独	連結	連結	連結
売上高（期初予想）	1,785	2,339	2,903	4,201	4,465	3,404	9,151	10,992	7,000	3,641
売上高（実績）	1,933	2,368	3,444	3,836	2,838	2,987	8,257	10,008	5,590	2,453
期初会社予想と実績の格差	8.3%	1.2%	18.6%	-8.7%	-36.4%	-12.2%	-9.8%	-8.9%	-20.1%	-32.6%
営業利益（期初予想）	-1,654	-2,778	-3,238	-2,981	-3,587	-5,090	1,361	1,770	-331	-2,837
営業利益（実績）	-2,552	-2,127	-3,947	-2,656	-4,302	-4,506	1,016	1,964	-812	-3,877
期初会社予想と実績の格差	-	-	-	-	-	-	-25.3%	10.9%	-	-
経常利益（期初予想）	-1,650	-2,811	-3,303	-3,044	-3,612	-5,134	1,350	1,750	-351	-2,867
経常利益（実績）	-2,630	-2,317	-3,977	-2,749	-4,377	-4,616	1,001	2,000	-736	-3,689
期初会社予想と実績の格差	-	-	-	-	-	-	-25.8%	14.3%	-	-
当期利益（期初予想）	-1,654	-2,815	-3,306	-3,056	-3,612	-4,803	1,149	1,480	-370	-2,870
当期利益（実績）	-2,632	-2,313	-3,978	-2,753	-4,376	-4,090	2,032	1,179	-1,963	-3,833
期初会社予想と実績の格差	-	-	-	-	-	-	76.9%	-20.3%	-	-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

貸借対照表

貸借対照表 (百万円)	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期
	単独	単独	単独	単独	単独	単独	単独	連結	連結	連結
資産										
現金及び預金	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849	3,860	6,283	6,517	3,964
有価証券	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
売掛金	301	487	490	412	549	407	2,148	2,085	913	423
たな卸資産	133	273	363	534	1	945	386	469	232	239
その他の流動資産	131	205	237	271	427	615	355	476	420	299
流動資産合計	4,827	6,685	4,037	6,038	4,887	5,815	6,748	9,313	8,083	4,924
建物 (純額)	22	31	28	37	47	43	45	41	-	-
工具、器具及び備品 (純額)	31	43	18	20	19	34	39	28	-	-
有形固定資産合計	53	75	47	57	75	77	84	69	-	-
投資その他の資産合計	53	77	100	73	70	81	1,362	829	88	44
ソフトウェア	51	42	66	51	95	296	255	222	-	-
その他	1	-	3	20	146	6	4	-	-	-
無形固定資産合計	52	42	69	71	241	302	259	222	-	-
固定資産合計	158	193	216	201	386	459	1,705	1,121	88	44
資産合計	4,984	6,878	4,252	6,239	5,274	6,275	8,453	10,433	8,170	4,968
負債										
買掛金	320	322	604	726	121	665	70	47	-	-
前受収益	-	-	-	-	-	193	-	-	-	-
未払金	184	553	331	504	639	646	515	1,164	854	636
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	47	68	76	107	112	111	933	697	103	130
流動負債合計	551	942	1,011	1,336	872	1,615	1,518	1,924	957	766
長期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
社債	-	450	-	-	-	-	-	-	-	-
その他の固定負債	2	1	1	1	2	2	189	20	4	5
固定負債合計	2	451	1	1	2	2	189	3	4	5
有利子負債 (短期及び長期)	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
負債合計	552	1,394	1,013	1,338	874	1,617	1,707	1,927	960	771
純資産										
資本金	8,331	9,948	10,762	12,973	14,871	17,045	17,158	17,548	17,953	18,337
資本剰余金	8,301	9,918	10,732	12,943	14,841	17,019	17,133	17,523	17,928	18,312
利益剰余金	-12,500	-14,813	-18,791	-21,543	-25,919	-30,010	-27,978	-26,889	-28,852	-32,686
自己株式	-0	-0	-0	-0	-15	-18	-86	-88	-89	-90
新株予約権	300	431	537	530	621	620	519	412	277	317
純資産合計	4,432	5,485	3,239	4,902	4,400	4,657	6,746	8,506	7,210	4,198
運転資金	114	439	249	220	429	686	2,464	2,508	1,145	662
有利子負債合計	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
ネット・デット	-4,261	-5,719	-2,947	-4,821	-3,911	-3,849	-3,860	-6,283	-6,517	-3,964

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

資産

同社は臨床試験、製造を外部に委託している。そのため、資産の大半は流動資産であり、そのほとんどが現金及び預金である。

また、流動資産におけるたな卸資産は、主にトレアキシ[®]の製品在庫である。2023年12月期以降は、減損会計を適用して有形固定資産は計上されなかった。

負債

2024年12月期において、有利子負債はなく、負債項目としては、未払金、その他が計上されているに留まる。

純資産

資金調達により、資本金、資本準備金が増加している。一方、純損失を継続していたことから、利益剰余金は欠損となっている。

キャッシュフロー計算書

キャッシュフロー計算書	15年12月期	16年12月期	17年12月期	18年12月期	19年12月期	20年12月期	21年12月期	22年12月期	23年12月期	24年12月期
(百万円)	単独	単独	単独	単独	単独	単独	単独	連結	連結	連結
営業活動によるキャッシュフロー(1)	-2,272	-1,960	-3,817	-2,325	-4,351	-4,122	140	1,614	-195	-3,417
投資活動によるキャッシュフロー(2)	1,489	-44	-78	-26	-216	-160	-71	-47	-377	-4
FCF (1+2)	-783	-2,004	-3,894	-2,351	-4,567	-4,283	69	1,567	-571	-3,420
財務活動によるキャッシュフロー	-3	3,658	1,164	4,272	3,740	4,222	-72	628	680	708
減価償却費及びのれん償却費(A)	24	26	30	35	38	64	94	98	96	-
設備投資(B)	-24	-28	-57	-40	-217	-149	-64	-52	-233	-47
運転資金増減(C)	-98	325	-190	-29	209	257	1,777	44	-1,363	-483
単純FCF(NI+A+B+C)	-2,534	-2,640	-3,815	-2,729	-4,764	-4,433	285	1,182	-737	-3,397
現金及び現金同等物の期末残高	4,261	5,719	2,947	4,821	3,911	3,849	3,860	6,283	6,517	3,964

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

営業活動によるキャッシュフロー

営業活動によるキャッシュフローは、ほぼ税引前当期純損益に等しい。2021年12月期は自社販売を開始したことによる売掛金の増加があったことから、営業活動によるキャッシュフローと税引前当期純損益に差が生じた。

投資活動によるキャッシュフロー

同社は、臨床試験および製造は外部企業に委託していることから、有形固定資産、無形固定資産の取得による支出は限られる。2012年12月期、2013年12月期に投資活動によるキャッシュフローのマイナス額が拡大している理由は、定期預金の預入、有価証券の取得による。2015年12月期は定期預金の払戻による収入、有価証券の償還による収入によって、投資活動によるキャッシュフローは1,489百万円のプラスになった。

財務活動によるキャッシュフロー

財務活動によるキャッシュフローは、資金調達による収入でプラスとなったことが多かった。

主な資金調達

年月日	発行済株式 総数増減数 (株)	発行済株式 総数残高 (株)	資本金及び資本準備金 増加額 (百万円)	資本金及び資本準備金 (百万円)	
2014年12月	1,756,666	32,390,923	544	16,632	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の権利行使並びに新株予約権の権利行使
2016年1~12月	14,139,901	46,530,824	3,235	19,867	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の権利行使並びに新株予約権の権利行使
2017年1~12月	7,518,400	54,049,224	1,627	21,493	無担保転換社債型新株予約権付社債の新株予約権の権利行使並びに新株予約権の権利行使
2018年4~12月	28,349,700	82,398,924	4,422	25,915	新株予約権の権利行使
2019年1~12月	1,726,800	26,437,681	3,796	29,711	新株予約権の権利行使
2020年1~12月	11,765,275	38,202,956	4,349	34,064	新株予約権の権利行使
2021年1~12月	254,250	38,457,206	221	34,285	新株予約権の権利行使
2022年1~12月	1,146,400	39,603,606	787	35,072	新株予約権の権利行使
2023年1~12月	2,674,475	42,278,081	808	35,880	第三者割当増資による新株式発行並びに新株予約権の権利行使
2024年1~12月	3,650,775	45,928,856	768	36,649	新株予約権の権利行使 新規の資金調達を決議 (2024年12月)

出所：同社資料よりSR社作成

*同社は2019年7月に普通株式4株を1株にする株式併合を実施した。これにより発行済株式数は73,088,043株減少した。

その他の情報

沿革

同社は、元米国アムジェン社副社長で、アムジェン株式会社の創業期から約12年間社長を務めた吉田文紀氏が、2005年3月に設立した医薬品企業である。吉田文紀氏は、日本アムジェン社長時代に、市場規模が小さいために採算性の観点から、治療効果の高い新薬の開発を中止せざるを得なかった経験を持つ。同氏は闘病生活を続けている患者に、治療効果をもつ新薬を届けたいという想いに駆られ、同社を設立した。

米国アムジェン社：バイオ医薬品業界最大手。1980年、米国カリフォルニア州サウザンド・オークスにおいて、AMGen (Applied Molecular Genetics) として設立。日本においては、1993年5月にアムジェン株式会社として業務を開始した。なお、2008年2月に武田薬品工業株式会社がアムジェン株式会社の株式を100%取得している。

2005年の設立当初、ベンチャーキャピタルからの出資を受けることが困難な中、第一製薬株式会社（現第一三共株式会社（東証PRM 4568））、株式会社医学生物学研究所、イーピーエス株式会社、SBIホールディングス株式会社（東証PRM 8473）などから出資を受け、第1号開発薬トレアキシン®（ベンダムスチン塩酸塩）の導入に必要な資金（10億円）を調達。2005年12月、アステラスファーマ社（ドイツ、現アステラスドイツランド社）より、トレアキシン®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した。

2008年9月のリーマン・ショック後は、トレアキシン®の研究開発が順調に進む一方、同社は資金不足に陥ったという。資金調達のために社長自ら世界50社以上のベンチャーキャピタルを訪ね、2008年12月、米セファロン社から15億円の資金提供を受けることで、窮地を凌いだ。

2010年10月、トレアキシン®の国内製造販売承認を取得。2010年12月、トレアキシン®の国内販売を開始した。

悪性リンパ腫の抗がん剤トレアキシン®が同社の主力商品である。また、トレアキシン®の適応症追加、トレアキシン®RI製剤、骨髄異形成症候群の抗がん剤リゴセルチブに関して、国内承認取得に向け臨床試験の実施中または準備中である。

その他、2019年9月にキメリックス社から世界全域における開発・販売・製造の独占的権利を取得したプリンシドフォビル（天然痘疾患を除く）について、2020年代半ばの製品化を目標として開発を進めている。

年月	概要
2005年3月	シンバイオ製薬株式会社を資本金3,000万円で設立
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ド社（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9月	低悪性度非ホジキンリンパ腫、および慢性リンパ性白血病を適応症として「Symbenda®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）をシンガポールで新発売
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
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	慢性リンパ性白血病および多発性骨髄腫を適応症として「Symbenda®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）を韓国で新発売
2011年10月	大阪証券取引所JASDAQ市場グロースに上場
2012年2月	低悪性度非ホジキンリンパ腫および慢性リンパ性白血病を適応症として「Innomustine®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）を台湾で新発売
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承認を取得
2016年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の未治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマンテル細胞リンパ腫に対する効能追加承認を取得
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製剤）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
2019年9月	Chimerix社（米国）と抗ウイルス薬「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12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシン®」の自社販売開始を開始した。
2021年1月	トレアキシン液剤「RTD製剤」の販売を開始した
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を取得した。
2022年2月	トレアキシン液剤「RI投与」の承認を取得した。

大株主

大株主の状況	所有株式数 (株)	割合
吉田 文紀	1,684,200	3.7%
JPモルガン証券株式会社	551,900	1.2%
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC)	434,396	0.9%
伊藤 輔則	430,000	0.9%
モルガン・スタンレーMUFJ証券株式会社	397,400	0.9%
松井証券株式会社	309,100	0.7%
野村證券株式会社	272,236	0.6%
柏原 俊高	228,025	0.5%
木下 みどり	170,000	0.4%
山岸 浩一	164,400	0.4%
計	4,641,657	10.1%

出所：会社資料よりSR社作成

2024年12月末時点

*持株比率は発行済株式総数から自己株式を控除して計算している。

トップマネジメント

吉田文紀代表取締役社長

1971年学習院大学理学部卒業。MIT大学院修士課程修了（分子生物学）。ハーバード大学大学院で経営管理学、医療政策論研究。同大学院修士課程修了。MITにおいて、大腸菌のファージT4ウイルスの遺伝子地図づくりに取り組む中で、研究は時間をかけたからといって、成果が得られるわけではないと考え、サイエンスを理解できる企業家を目指し、ハーバード大学に転学し、経営管理学、医療政策論を学んだ。

1975年三菱商事株式会社入社。1977年エイ・エッチ・エス・ジャパン株式会社入社。1980年日本バイオ・ラッドラボラトリーズ株式会社設立。その後、日本シンテックス株式会社代表取締役社長を経て、1993年日本アムジェン株式会社設立、代表取締役社長。米国アムジェン社副社長。2005年3月シンバイオ製薬株式会社設立。同社社長。

従業員

2024年12月末時点における同社の従業員数は、前年比1名減少の108名である。ピークであった2021年12月末の141名からの比較で3期合計33名の減少となった。

従業員数 (人)	15年12月期 単独	16年12月期 単独	17年12月期 単独	18年12月期 単独	19年12月期 単独	20年12月期 単独	21年12月期 単独	22年12月期 連結	23年12月期 連結	24年12月期 連結
従業員数	74	77	78	90	107	127	141	122	109	108
増減	5	3	1	12	17	20	14	-19	-13	-1

出所：会社データよりSR社作成

ところで

臨床試験の概要

新薬の開発期間は10～17年

新薬開発のプロセスは以下の4段階に分けられ、一般的には、基礎研究から承認取得・製品化までは、通常10～17年を要する。

一般的な新薬開発のプロセスと期間

プロセス	期間	内容
基礎研究	2～3年	新規物質の創製及び候補物質の絞り込み
前臨床試験	3～5年	実験動物を用いて、有効性及び安全性を確認する試験
臨床試験	3～7年	第Ⅰ相：少数健康人を対象にして、安全性及び薬物動態を確認する試験
		第Ⅱ相：少数患者を対象にして、有効性及び安全性を確認する試験
		第Ⅲ相：多数患者を対象にして、既存薬との比較により有効性及び安全性を確認する試験
申請・承認	1～2年	国(厚生労働省)による審査

出所：同社資料よりSR社作成

化合物から医薬品としての製造承認に至る確率は10万分の1

一般的に、化合物開発から医薬品としての製造承認取得に至る確率は10万分の1であるといわれている。トムソン・ロイター2013年版製薬R&Dファクトブックによれば、2006年～2008年における世界の製薬会社の各プロセスの成功率は、前臨床：67%、第Ⅰ相臨床試験：46%、第Ⅱ相臨床試験：19%、第Ⅲ相臨床試験：77%、承認申請：90%であった。

また、抗がん剤の成功率は他の医薬品の成功率と比較して低い傾向がある。BIOtechNOWによれば、米国において、2004～2011年の間で第Ⅰ相臨床試験から承認取得までの抗がん剤の成功率が6.7%であったのに対し、他の医薬品は12.1%であったという。特に第Ⅲ相臨床試験の成功率の差が顕著であった。抗がん剤の第Ⅲ相臨床試験の成功率が45%であったのに対し、他の医薬品では同64%であった。

外国臨床データを受け入れる際に考慮すべき民族的要因についての指針

外国の臨床試験データの相互利用に関しては、その基本的な考え方が、1998年に厚生省（現厚生労働省）より「外国臨床データを受け入れる際に考慮すべき民族的要因についての指針」（ICH-E5ガイドライン）として公表された。この指針ではある地域で得た臨床試験の結果を別の地域の住民集団に一般化し適用することを試験データの外挿と呼び、地域間での外挿可能性の評価に関する考え方を示している。

日本における承認申請には、日本人における薬物動態（投与された薬物がどのように吸収され、組織に分布し、代謝され、排泄される過程）データ、用量反応データ、および有効性に関する検証試験データが必要である。ただし、ブリッジング試験（外挿可能性を評価するための臨床試験）によって外国の臨床試験の結果を日本の住民集団に適用できると判断された場合には、有効性に関する検証試験として外国で実施された臨床試験結果を用いることができる。

用語解説

IgG

免疫グロブリンG（Immunoglobulin G）の略。IgGは血清中の免疫グロブリンの主体を占め、病原体に結合してその感染を阻止（中和）、あるいは病原体をマクロファージが取り込みやすくするなど感染防御の主体をなしている。

SPA（特別プロトコール査定）

第Ⅱ相臨床試験終了後に、第Ⅲ相臨床試験について、対象疾患、目的、試験デザイン、主要及び副次評価項目、解析方法などに関してFDAと事前合意し、試験終了後は合意内容を変更せずにそのまま承認審査での承認要件として認める制度。当該制度を利用することにより、新薬承認申請をした場合に、第Ⅲ相臨床試験の内容について予め当局による検討が終了しているため、承認申請後における評価、承認が得られやすくなり、より確実に市場への投入が期待できる。

MR（Medical Representative）

自社医薬品に関する情報の専門家として医療機関を訪問し、医療関係者と面談することにより、医薬品の品質・有効性・安全性等に関する情報の提供・収集・伝達を主な業務とする医療情報担当者のこと。

OS（Overall Survival：全生存期間）

基準日から全原因による死亡の日までの期間。エンドポイントが正確で測定しやすく、死亡日によって証明される。

希少疾病分野

医療上の必要性は高いものの、薬を必要とする患者数が少ない疾病分野のことで、この分野に対する開発が進んでいない医薬品をオーファンドラッグ（Orphan Drug、希少疾病用医薬品）という。

厚生労働省はオーファンドラッグの研究開発を振興するために、助成金などの優遇制度を設けている。当該指定を受けると、他の医薬品に優先して審査を受けられる（申請から承認までの期間が短縮される）、再審査期間を最長10年まで延長することができる、薬価への加算評価が期待できるといったメリットを享受することが可能となる。

抗原

通常、細菌やウイルスの持つタンパク質等、体内で異物と認識され、抗原抗体反応を起こさせる物質のことを抗原という。抗原が体内に入ると、これを撃退するための物質として抗体が作られ、抗原を排除するために働く。さらにこの意味から派生して、抗体に結合する物質、あるいはこれから抗体を作製したい物質全般を、抗原と呼ぶこともある。

骨髄異形成症候群（MDS：Myelodysplastic Syndromes）

MDSは、骨髄中の血球を作る造血幹細胞に異常が生じ、十分な量の血球を作ることができなくなり、血球減少を起こす疾患である。異常な造血幹細胞から作られた血球は、形態が異常となることから、「異形成」と呼ばれる。症状としては、貧血、感染、出血傾向が高頻度で起こる。主に高齢者に多く、また、MDSの患者が急性白血病に移行する比率は10～20%と言われている。

CRO（Contract Research Organization：受託臨床試験実施機関）

製薬企業が、自社で実施する開発業務を遅滞なく進めるために、一部の業務について委託を行う機関。委託業務の内容としては、治験が実施計画書通りに遂行されているかをモニタリングするモニター業務や、臨床データを管理するデータ管理業務などがある。

第一選択薬

ある疾患に対して数ある治療薬のうち、最初に投与するべき治療薬のこと。有効性が高く、副作用も少ない薬が通常第一選択薬となる。これを投与しても効果が見られない場合、第二選択薬の投与にうつる。

非ホジキンリンパ腫（ひホジキンリンパしゅ）

非ホジキンリンパ腫（NHL: Non-Hodgkin lymphoma）は、ホジキンリンパ腫以外の全ての多様な悪性リンパ腫を含む一群である。日本では、びまん性大細胞型（Diffuse Large Cell Type）が多い。

標準療法

科学的根拠に基づいた観点で、現在利用できる最良の治療であることが示され、ある状態の一般的な患者に行われることが推奨される治療。

ブリッジング試験

海外での臨床試験を活用し、国内での重複試験を避け、治療薬を早期に承認取得することを目的とする。海外での臨床試験データが、日本人の患者でも再現されることを確認するために実施される。

PFS（Progression-Free Survival：無増悪生存期間）

基準日から客観的な腫瘍増悪または死亡までの期間。がんが進行することなく患者が生存している期間のこと。

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。

マルチキナーゼ阻害作用

がんでは活性が上がっている複数の（チロシン）キナーゼを阻害する作用。チロシンキナーゼは、細胞の増殖、分化などに関わる信号の伝達に重要な役割を果たす。遺伝子の変異によってチロシンキナーゼが異常に活性化すると、細胞が異常に増殖し、がんなどの疾病の原因となる。

慢性リンパ性白血病

骨髄中で白血球の一種であるリンパ球が腫瘍化し過度に増殖するがんの一種であり、欧米では全白血病の約30%を占める最も発症頻度の高い白血病である。国内の患者総数は2,000人程度で、新規の罹患率は10万人に0.3人前後と希少な疾患である。

マントル細胞リンパ腫

侵攻性の（増殖の速い）B細胞非ホジキンリンパ腫の一種で、通常は中年以上の成人に発生する。リンパ節、脾臓、骨髓、血液、消化器系などに生じる小ないし中等大のがん細胞を特徴とする。

モノクローナル抗体

単一の抗体分子を産生する細胞から得られた抗体のことをいう。特定の性質を持つ抗体を大量に産生することが可能であり、抗体医薬品の開発にも利用される。

用量反応性

薬剤の適切な用法・用量を設定するために検討するもので、薬剤の投与量と有効性の関係を示す。通常、薬剤の投与量が増加するに従って、有効性が高くなることが期待される。

社名の由来

同社は「共に創り、共に生きる」を企業理念としている。社名の「シンバイオ」は英語の「symbiosis（共生）」と「バイオテクノロジー」を組み合わせたもの。

会社のマークは、患者を中心に、医師、科学者、行政、開発資金の提供者が支え合う関係を象徴している。ロゴの色は、永遠の生命力「エヴァーグリーン」への探求姿勢を色で表現している。

ニュース&トピックス

悪性リンパ腫に対するBCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法について学会で発表

2024年11月20日

シンバイオ製薬株式会社は、悪性リンパ腫に対するBCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法について、学会で発表する。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、悪性リンパ腫に対するBCVと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法について、第66回米国血液学会総会 (ASH) で発表する。同発表は、シンガポール国立がんセンターとの共同研究による成果である。

- ▶ 同発表の抄録は、下記のASH websiteにて参照が可能である
<https://ash.confex.com/ash/2024/webprogram/Paper202761.html>

副社長執行役員兼グローバルCMOの選任に関して発表

2024年11月5日

シンバイオ製薬株式会社は、副社長執行役員兼グローバルCMOの選任について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、Jay Marshall Feingold (ジェイ・マーシャル・ファインゴールド) 医学博士を、副社長執行役員兼グローバルCMO (Chief Medical Officer) として選任した。ファインゴールド博士は、同社の米国子会社 (SPU) のSenior Vice Presidentを兼任する。

同氏は、米国ワイス社 (ファイザー社が2009年に買収) や第一三共株式会社などで要職を務めた経歴を持つ。

BCVのアデノウイルス感染症第II a相臨床試験の詳細データの公表

2024年10月23日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのアデノウイルス (AdV) 感染症第II a相臨床試験の詳細データが学会で公表されたと発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

BCVのアデノウイルス (AdV) 感染症第II a相臨床試験の詳細データが、ID Week 2024 (米国感染症学会週間) において公表された。同試験のPOC (Proof of Concept) は2023年5月に確立され、複数の欧米主要学会で発表済みである。今回の学会発表では、血中AdVの消失と臨床症状改善との関連性が、追加で報告された。

- ▶ Cohort 3 (0.4mg/kg、週2回投与群) では、9例 (100%) で血中 AdVが消失したことに加えて、AdV感染症が臨床症状として消失 (6例) または改善 (3例) した
- ▶ 全31例 (Cohort 1~4の合計) 中で血中 AdVが消失した20例のうち19例 (95%) で、AdV感染症が臨床症状として消失 (15例) または改善 (4例) した

「トリアキシン®」に関する特許権侵害訴訟の和解成立について発表

2024年9月30日

シンバイオ製薬株式会社は、「トリアキシン®」に関する特許侵害訴訟の和解成立について発表した。

シンバイオ製薬 4582



Shared
Research

Research Coverage Report by Shared Research Inc. | <https://sharedresearch.jp> | 登録無料

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社と米国Eagle Pharmaceuticals, Inc.が共同で提起していた東和薬品株式会社に対する特許権侵害差止等請求事件訴訟について、2024年9月30日に東和薬品との間で和解が成立した。本訴訟の対象製品は、同社製品であるトレアキシン®点滴静注液100mg/4mLの後発医薬品である。

和解条件は非開示であり、2024年12月期の業績に与える影響は軽微である。

悪性リンパ腫患者を対象にBCVの国際共同第 I b相臨床試験を開始

2024年8月19日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのがん領域における臨床試験の開始について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、再発又は難治性のリンパ腫患者（NK/T細胞リンパ腫などの悪性リンパ腫）を対象としたBCVの国際共同第 I b/II 相臨床試験を開始した。シンガポール国立がんセンターとのBCVに関する共同研究（非臨床試験）の成果として、がん領域におけるFIH（First in Human）試験に進展する。

BCVの臨床試験としては、「造血幹細胞移植後の播種性アデノウイルス（AdV）感染症」、「造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症」に次ぐ3つめとなり、がん領域においては初めての臨床試験となる。

BCVがポリオーマウイルスの感染性ウイルス産生を抑制したことを発表

2024年7月12日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのポリオーマウイルスに対する研究成果について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、BCVがポリオーマウイルスの感染性ウイルス産生を抑制したと発表した。同研究成果は、米国ペンシルベニア州立大学医学部が、ポリオーマウイルス感染マウスモデルを用いて検証し、論文発表した。同社は、2022年11月から同大学と共同研究を行っている。

BCVの末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する抗腫瘍効果に関して発表

2024年6月24日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVの抗腫瘍効果について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

BCVの末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）に対する抗腫瘍効果がマウスモデルで確認され、第29回欧州血液学会（EHA2024 Hybrid Congress）においてその研究成果が発表された。同発表は、シンガポール国立がんセンターとの共同研究の成果である。NK/T細胞リンパ腫に続いて、末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）においてもBCVの抗腫瘍効果が確認された。

サイトメガロウイルス感染症を対象とした第 II a相臨床試験において患者登録を開始

2024年6月11日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのサイトメガロウイルス（CMV）感染症を対象とした第 II a相臨床試験について発表した。

(リリース文へのリンクは[こちら](#))

同社は、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験において、第1例目の患者登録を完了した（FPI）。2024年2月、同臨床試験のプロトコル変更申請は、米国食品医薬品局（FDA）に受理されていた。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。

BCVのサイトメガロウイルス感染症を対象とした第II a相臨床試験の開始について発表

2024年5月8日

シンバイオ製薬株式会社は、BCVのサイトメガロウイルス（CMV）感染症を対象とした第II a相臨床試験の開始について発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、BCVの造血幹細胞移植後のCMV感染症を対象とした第II a相臨床試験を開始する。2024年2月、同臨床試験のプロトコル変更申請は、米国食品医薬品局（FDA）に受理されていた。CMV感染症は、アデノウイルス（AdV）感染症に次ぐBCVの2つめの適応症となる。

通期業績予想の修正に関して発表

2024年5月7日

シンバイオ製薬株式会社は、2024年12月期通期業績予想の減額修正に関して発表した。

（リリースへのリンクは[こちら](#)）

2024年12月期通期業績予想の減額修正

- 売上高：2,623百万円（前回予想は3,641百万円）
- 営業損失：3,702百万円（同2,837百万円の損失）
- 経常損失：3,524百万円（同2,867百万円の損失）
- 親会社株主に帰属する当期純損失：3,628百万円（同2,870百万円の損失）

修正の理由

トレアキシン[®]の薬価は、後発医薬品の上市に伴う新薬創出加算分の減額により大きく下落した結果、2024年4月からの新薬価適用前の在庫調整の影響が同社想定を上回り、当第1四半期における売上高は同社想定を下回った。感染症の流行による悪性リンパ腫の症例当たり薬剤使用量の減少傾向は継続し、今後後発医薬品のシェアが徐々に増加することが見込まれる。そのため、当第1四半期の売上高の落ち込みを第2四半期以降において挽回することは困難と同社は判断し、2024年12月期の売上高予想を1,018百万円（前回予想より28.0%減）引き下げ、2,623百万円とした。

臨床試験等の開発は順調に進捗しており、研究開発費は3,409百万円（同201百万円増）を見込む一方で、その他の経費見直し等により販売費及び一般管理費全体としては概ね予想通りとなった。

売上高の減少に伴う売上総利益の減少が影響し、営業損失3,702百万円（同865百万円減）、経常損失3,524百万円（同657百万円減）および親会社株主に帰属する当期純損失3,628百万円（同758百万円減）へ修正した。

為替レートは、前回予想では1米ドル=141.83円を前提としていたが、今回1米ドル151.41円の前提へと変更した。

オンコノバ社が経営統合により新会社を設立と発表

2024年4月8日

シンバイオ製薬株式会社は、オンコノバ社が経営統合により新会社を設立したと発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社が開発中のリゴセルチブのライセンサー（導入元）であるオンコノバ社は、経営統合により新会社を設立した。相手先企業は、バイオテクノロジー企業のTrawsfynydd Therapeutics, Inc.であり、新会社Traws Pharma, Inc.を設立するという。同社は、2011年7月にリゴセルチブの日本および韓国における独占的開発権および販売権を取得した。

米国子会社（SPU）のCEO交代に関して発表

2024年4月1日

シンバイオ製薬株式会社は、米国子会社（SPU）のCEO交代に関して発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、米国子会社（SPU）のCEO兼社長が、Stephane Berthier（ステファン・ベルティエ）氏から、John Houghton（ジョン・ホートン）氏に交代したと発表した。米国SPUは、BCVのグローバル開発の戦略拠点である。

EUにおけるBCVのオーファンドラッグ指定取得に関して発表

2024年3月25日

シンバイオ製薬株式会社は、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ指定を取得したと発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社は、EUにおいてBCVがオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定*を取得したと発表した。同社は、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象として、欧米日英の四地域を中心とした国際共同臨床試験によってBCVの第III相臨床試験を計画している。オーファンドラッグ指定によりEUでは上市后10年間の排他的先発販売権が付与されるという。

*EUでは人口10千人当たり5人以下の患者数かつ重篤な慢性疾患であることが指定要件である。

B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果をがん学会にて発表

2024年3月18日

シンバイオ製薬株式会社は、B細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が学会発表されると発表した。

（リリース文へのリンクは[こちら](#)）

同社とシンガポール国立がんセンター（NCCS）との共同研究の成果が、2024年4月に米国がん学会（AACR Annual Meeting 2024）において発表される。同学会では、以下のようなB細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果が発表される。

- BCVは、全19種のB細胞リンパ腫の細胞株を濃度依存的に抑制した（IC50：0.0798~8.414 μ g/ml）
- 難治性のDouble-hit DLBCL細胞株を含む9つの細胞株では顕著な感受性を示した（IC50<1 μ g/ml）
- DLBCL患者コホートにおいては、TLE1が高発現するほど全生存期間が悪化する傾向があった

企業概要

企業正式名称

シンバイオ製薬株式会社

代表電話番号

03-5472-1125

設立年月日

2005年3月25日

本社所在地

**〒105-0001 東京都港区虎ノ門4-1-28 虎ノ門タワーズオフィス
7F**

上場市場

東証グロース

上場年月日

2011年10月20日

決算月

12月

株式会社シェアードリサーチについて

株式会社シェアードリサーチは今までにない画期的な形で日本企業の基本データや分析レポートのプラットフォーム提供を目指しています。さらに、徹底した分析のもとに顧客企業のレポートを掲載し随時更新しています。

連絡先

企業正式名称

株式会社シェアードリサーチ / Shared Research Inc.

TEL

+81 (0)3 5834-8787

住所

東京都千代田区神田猿樂町2丁目6-10

Email

info@sharedresearch.jp

HP

<https://sharedresearch.jp>

ディスクレーム

本レポートは、情報提供のみを目的としております。投資に関する意見や判断を提供するものでも、投資の勧誘や推奨を意図したものではありません。SR Inc.は、本レポートに記載されたデータの信憑性や解釈については、明示された場合と黙示の場合の両方につき、一切の保証を行わないものとします。SR Inc.は本レポートの使用により発生した損害について一切の責任を負いません。本レポートの著作権、ならびに本レポートとその他Shared Researchレポートの派生品の作成および利用についての権利は、SR Inc.に帰属します。本レポートは、個人目的の使用においては複製および修正が許されていますが、配布・転送その他の利用は本レポートの著作権侵害に該当し、固く禁じられています。SR Inc.の役員および従業員は、SR Inc.の調査レポートで対象としている企業の発行する有価証券に関して何らかの取引を行っており、または将来行う可能性があります。そのため、SR Inc.の役員および従業員は、該当企業に対し、本レポートの客観性に影響を与える利害を有する可能性があることにご留意ください。

金融商品取引法に基づく表示：本レポートの対象となる企業への投資または同企業が発行する有価証券への投資についての判断につながる意見が本レポートに含まれている場合、その意見は、同企業からSR Inc.への対価の支払と引き換えに盛り込まれたものであるか、同企業とSR Inc.の間に存在する当該対価の受け取りについての約束に基づいたものです。