

## ◎ 会社概要 (2024年9月30日現在)

名称 シンバイオ製薬株式会社  
英文名称 SymBio Pharmaceuticals Limited  
所在地 〒105-0001  
東京都港区虎ノ門四丁目1番28号  
設立 2005年3月25日  
資本金 183億3,239万円  
事業内容 特定疾病領域(がん・血液・希少疾患)  
における医薬品の開発および商業化

## ◎ 役員 (2024年9月30日現在)

代表取締役社長 兼 CEO 吉田 文紀  
取締役(社外) 松本 茂外志  
取締役(社外) ブルース・デビッド・チェン  
取締役(社外) 海老沼 英次  
取締役(社外) 今別府 敏雄  
取締役(社外) ジョージ・モースティン  
取締役 常勤監査等委員(社外) 渡部 潔  
取締役 監査等委員(社外) 遠藤 今朝夫  
取締役 監査等委員(社外) 賜 保宏

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

### CEO対談

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

ホームページTOP ▶ ビジョン ▶ CEOメッセージ ▶ 吉田文紀発言集 ▶ CEO対談



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

## ◎ 株式の状況

発行可能株式総数(2024年6月30日現在) 115,000,000株  
発行済株式の総数 45,908,581株  
株主数 36,840名

## ◎ 大株主 (上位10位)

株主名	持株数(株)	持株比率(%)
吉田 文紀	1,684,200	3.68
BOFAS INC SEGREGATION ACCOUNT	1,000,000	2.18
伊藤 輔則	430,000	0.94
JPモルガン証券株式会社	247,239	0.54
柏原 俊高	220,025	0.48
BARCLAYS CAPITAL SECURITIES LIMITED	205,420	0.45
松井証券株式会社	183,800	0.40
BNY GCM ACCOUNTS MNOM	178,300	0.39
高原 達也	170,100	0.37
SMBC日興証券株式会社	161,000	0.35

(注)持株比率は発行済株式の総数より自己株式を控除して計算しております。

## ◎ 株式の分布状況 (2024年6月30日現在)



## ◎ 株主メモ

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

<https://www.symbiopharma.com/>

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



シンバイオ製薬株式会社

Vol. **26** 第**20**期  
**SymBio VISION**

わかちあう、創薬の喜び。

### 社長メッセージ

真のグローバル・スペシャリティファーマへ  
プラットフォーム構築は順調な進捗



シンバイオ製薬株式会社



環境に優しい植物油インキを使用しています。

○ 当社の持続的成長モデル

医療のニーズが高い「空白の治療領域」に特化

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

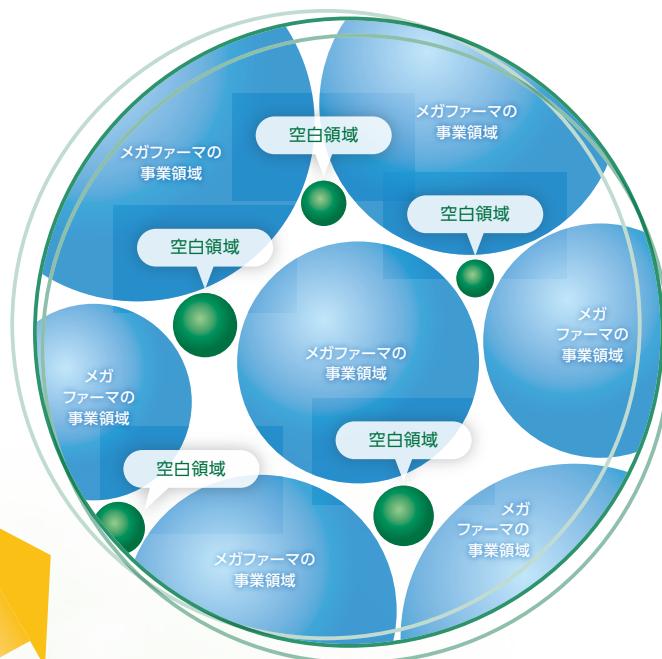
卓越した独自の医薬開発モデルを実現

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

多彩なパイプラインで事業価値を最大化

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

シンバイオが挑む「空白の治療領域」



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

経営理念

共創・共生

(共に創り、共に生きる)



真のグローバル・スペシャリティファーマへ  
プラットフォーム構築は順調な進捗

布林シドフォビルの比類なき抗ウイルス活性を活かし  
「三本の柱」で事業化を急ぐ



代表取締役社長 兼 CEO 志田 文紀

2030年までにグローバル売上比率を50%とする  
「50-50 in 2030」が経営のキーワード

シンバイオは現在、創業以来の目指す姿であるグローバル・スペシャリティファーマとなるための大きな転換期にあります。2030年までに日本国内とグローバルの売上比率を50:50とする「50-50 in 2030」を経営のキーワードとし、抗ウイルス薬「布林シドフォビル」のグローバル開発を中心として事業推進しています。

2023年5月、米国で臨床試験を進めていた注射剤布林シドフォビル(IV BCV)がPOC<sup>\*1</sup>を確立したことで、我々は事業グローバル化に向けた大きな手ごたえを得ることができました。その後の進捗としては、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象とした第IIa相臨床試験において、血中アデノウイルスの消失と臨床症状改善との関連性を示すデータが「米国感染症学会週間(2024年10月16日～19日、米国カリフォルニア州)」で発表されました。現在は第III相臨床試験に向けて各国規制当局と調整を進めています。

布林シドフォビルの最大の特長は、二本鎖DNAウイルスに対して極めて広いスペクトラムを持っていることです。シンバイオでは、この一つの化合物で複数のパイプラインを形成する「事業のプラットフォーム化」を目指しています。布林シドフォビル事業のプラットフォームは三つの治療領域で構成されています(次頁参照)。この三本の柱のうち、「第一の柱」は造血幹細胞移植後のウイルス感染症であり、現在、アデノウイルス感染症とサイトメガロウイルス感染症を中心とした2つの臨床試験が進んでいます。

「第二の柱」は血液腫瘍・固形がんの領域であり、こちらも2024年8月、悪性リンパ腫に対する臨床試験を開始しました。

「第三の柱」である脳神経変性疾患の領域については、米国国立神経疾患・脳卒中研究所(NINDS)とCRADA<sup>\*2</sup>を締結し、臨床試験開始に向けた共同研究が進んでいます。

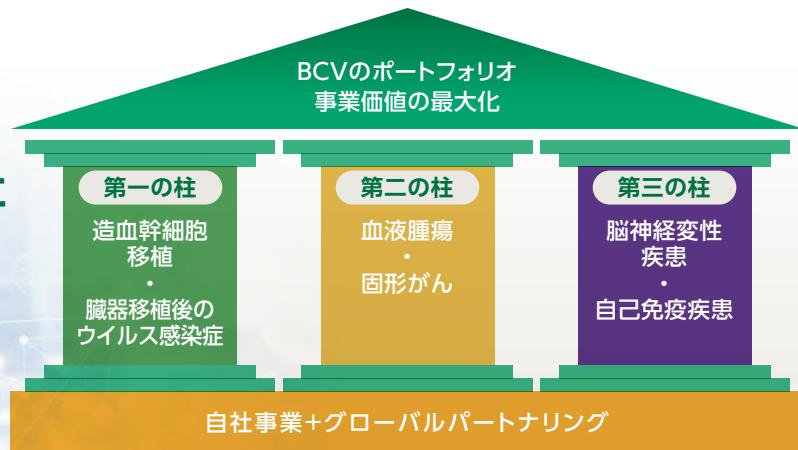
<sup>\*1</sup>: Proof of Conceptの頭文字で、研究開発中の新薬候補物質において、有用性・効果が認められること。

<sup>\*2</sup>: CRADA:Cooperative Research and Development Agreementの頭文字。NIHなど連邦政府研究機関が、民間企業や大学との共同研究を行う際に締結される正式な契約。

## シンバイオが 企業使命として挑む 有効な治療法が限られた 「三つの領域」

### 三つの治療領域からなる「三本の柱」

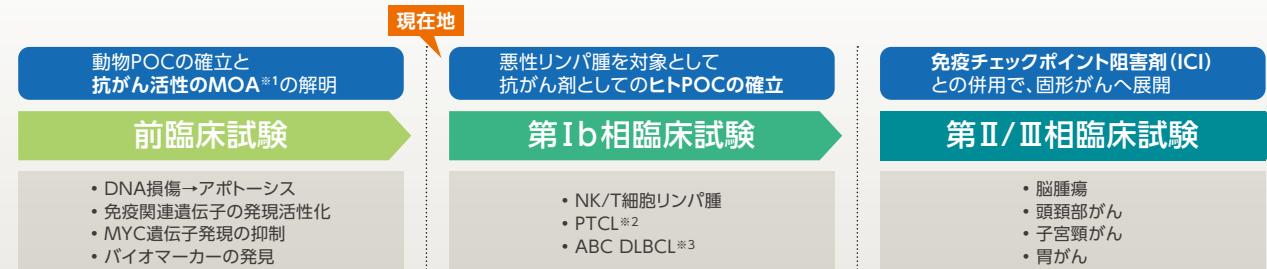
プリンシドフォビル (BCV) の開発にあたっては、同剤の事業価値を最大化する三つの治療領域を「三本の柱」と定めています。自社事業だけでなくグローバルパートナーリングも活用し、これを礎として「三本の柱」を大きく育てていきます。



## “第二の柱”がん領域の戦略 — 基本的な考え方

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」を期待する

プリンシドフォビルは、前臨床試験においてその作用機序が解明されつつあります。現在は抗がん剤としてのPOC確立を目指して臨床試験が進んでおり、将来的には免疫チェックポイント阻害剤との併用で固形がんへの展開を期待しています。



※1 MOA: Mode of Actionの頭文字で、薬剤の作用機序を指す。 ※2 PTCL: 末梢性T細胞リンパ腫 ※3 DLBCL: びまん性大細胞型B細胞リンパ腫

### プリンシドフォビルの事業価値を最大化する 三つの「空白の治療領域」

シンバイオは、プリンシドフォビルが二本鎖DNAウイルスに対して広いスペクトラムを持っていることに着目し、「Pipeline within a molecule (一つの化合物から複数のパイプラインを形成・事業化すること)」の実現を目指しています。2019年に同剤のグローバルライセンス(オルソポックスウイルス疾患を除く)を取得して以来、同剤のさまざまな可能性を探ってきました。ここまでの研究成果を踏まえ、シンバイオが血液腫瘍領域において新薬の開発・商業化に成功する過程で製薬会社として培った知見を活かし、三つの治療領域の事業化において挑戦することにより、同剤の事業価値を最大化することを目指しています。

### 【第一の柱】造血幹細胞移植後感染症や 臓器移植後感染症の領域で優れた研究成果を上げる

第一の柱である移植後感染症の領域については、既に注射剤プリンシドフォビルがアデノウイルスに対する抗ウイルス効果のPOCを達成しており、主要な欧米の国際学会で発表されるなど高い評価を受けています。現在はこの結果をもとに、サイトメガロウイルス感染症を適応症とした第II相臨床試験が進んでいます。また、2024年7月には米国ペンシルベニア州立大学との共同研究の成果として、プリンシドフォビルがポリオーマウイルスに対する産生抑制効果を発揮したことが確認されました。ポリオーマウイルスの一種であるBKウイルスやJCウイルスの感染は深刻な疾患と関連しています。この研究成果は、プリンシドフォビルがこれらの疾患の有効な治療薬になる大きな可能性を示唆しています。

### 【第二の柱】がんの領域では 血液腫瘍の臨床試験が先行

第二の柱は、血液腫瘍および固形がんの領域です。NK/T細胞リンパ腫を適応症とした前臨床試験において抗がん活性の作用機序が確認されたことを受けて、2024年8月より注射剤プリンシドフォビルによる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ています。

がん領域におけるシンバイオの戦略は、プリンシドフォビルがもつ安全性プロファイルを活かし、がん細胞を選択的に死滅させることを目指すものです。臨床試験が進めば、免疫チェックポイント阻害剤との併用により、脳腫瘍や頭頸部がん、子宮頸がん、胃がんなどの固形がんの領域でも有効な治療薬となりうると考えています。

### 【第三の柱】より市場の大きな領域へ プリンシドフォビルの事業価値の最大化を目指す

第三の柱である脳神経変性疾患、自己免疫疾患の領域についても、ウイルスとの関連が示唆されている疾患をターゲットとして米国国立衛生研究所 (NIH) と多発性硬化症を対象として共同研究開発を締結し、開発を進めています。脳神経変性疾患や自己免疫疾患は、未充足の治療領域も多く、市場規模も大きな領域です。これら三つの治療領域の取り組みにより、プリンシドフォビルのポートフォリオ充実と事業価値の最大化を目指してまいります。

代表取締役社長 兼 CEO

吉田 文紀

次頁

優れた成果を生み始めた  
グローバル研究開発戦略

## 優れた成果を生み始めたグローバル研究開発戦略



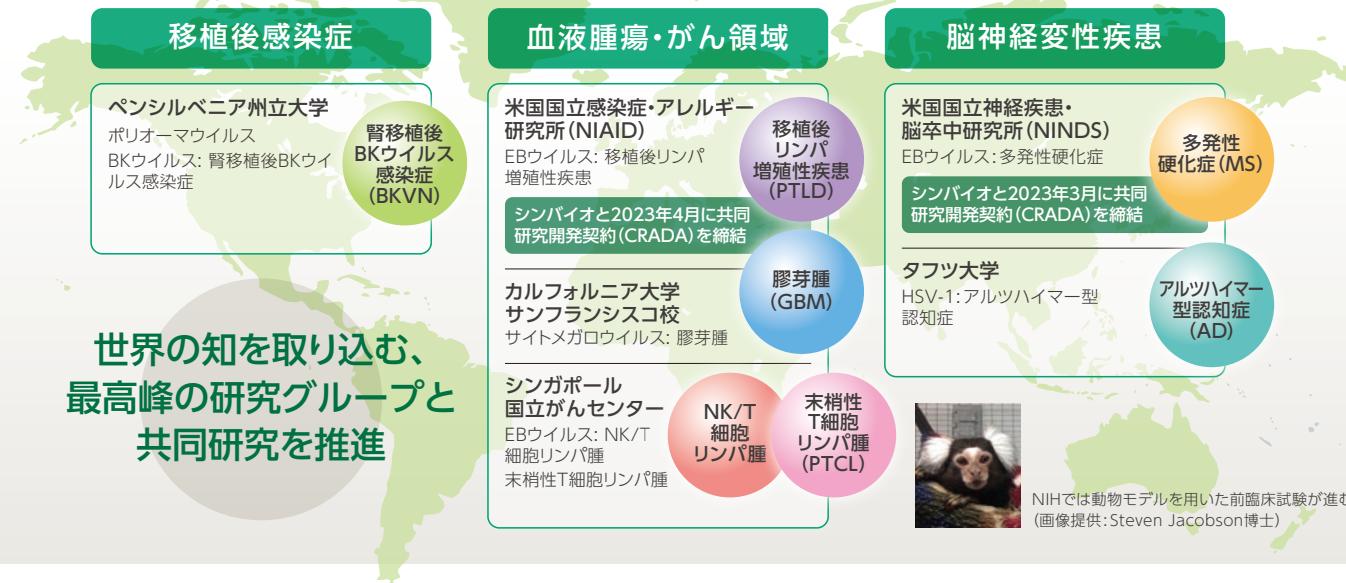
神谷 哲  
トランスレーショナルリサーチ部  
メディカルアドバイザー

### 幅広い治療領域と適応症から最適な分野を選択し複数の臨床試験を迅速に進める

プリンシドフォビルは抗ウイルス活性以外の薬効も持つがゆえに、その研究開発においては優先順位づけが、重要になります。シンバイオが本剤のグローバルライセンスを取得して約4年の間に、世界トップクラスのアカデミアと共同研究契約(右図参照)や、4つの適応症で臨床試験を開始しました。研究機関との円滑なコミュニケーションが、スピーディーな開発体制を支えています。



米国国立衛生研究所  
(画像: NIHのFlickrアカウントより)



### 医学専門家の立場から スムーズな臨床研究をサポートする

メディカルアドバイザーの役割は、医学専門家としてシンバイオの事業展開に助言することです。シンバイオには日本の医師免許を持ち、基礎医学のスペシャリストでもある内科医が私を含め2名常勤で在籍しており、それぞれの専門性を活かしアドバイスをを行っています。

私の専門は臨床免疫学であり、免疫学と対をなすウイルス学、細菌学、寄生虫学がサブスペシャリティです。シンバイオの事業展開に沿った前臨床研究や臨床研究がスムーズに行われるように、アカデミアとの間に入って医学的・科学的なコミュニケーションのサポートを行っています。

### シンバイオの強みは 小回りがきくこと

シンバイオの強みはいくつもありますが、最も重要なことは「小回りがきくこと」です。シンバイオの社員の約3分の1が研究開発員であり、数多くの医学・薬学の専門家が在籍しています。私が所属するトランスレーショナルリサーチ部においても、私たち社員自らが、前臨床研究の計画を策定し研究データを得たのち分析を行い、プロジェクトを推進していきます。意思決定のスピードが速く、状況に応じた最適な選択を、最短の時間で下すことができます。私自身も、自らデザインした前臨床研究の結果をもとに世界トップクラスの研究員の方々とコミュニケーションできることに大きな喜びを感じています。

### 世界トップクラスのアカデミアの パートナーとして

プリンシドフォビルは、二本鎖DNAウイルスに対して優れた抗ウイルス活性を持つ薬剤です。ところが最近の前臨床試験によって、ウイルスに関連のないがんに対しても有効性を示すことが明らかになりました。抗がん活性の作用機序については、シンバイオが共同研究を行っているシンガポール国立がんセンターのジェイソン・Y・チャン博士によって発表されています。

2024年10月、私は吉田社長に帯同し、米国各都市にある共同研究先のアカデミアを訪問しました。

訪問先は、アルツハイマー型認知症の研究を行うタフツ大学、多発性硬化症を研究するNINDS、リンパ増殖性

疾患を研究するNIAID、膠芽腫\*の研究を行うカリフォルニア大学サンフランシスコ校です。これらに加え、複数の固形がんを研究しているフランスの共同研究者ともニューヨークの学会で顔を合わせ、今後の研究の方向性についてすり合わせを行い、協議してきました。

これらの研究機関では極めて速いスピードで研究が進んでいます。いずれの研究においても興味深い結果が得られつつあります。近い未来、プリンシドフォビルが数多くの「空白の治療領域」で新しいタイプの治療薬として使われることを大いに期待しています。

\* 脳実質を形成する神経細胞(ニューロン)と神経膠細胞(グリア細胞)のうち、神経膠細胞が腫瘍化したものです。原発性脳腫瘍のうち、髄膜腫に次いで多く見られます。神経膠腫は細胞の種類により、星細胞腫、乏突起膠腫に大きく分けられます。最も多く見られるのは星細胞腫で、悪性度の高い膠芽腫(グリオブラストーマ)などがあります。

出典「国立がん研究センターがん情報サービス」