

*Delivering hope
to patients in need*

シンバイオ製薬株式会社

2024年度
決算説明会

2025年2月13日

目次

第1部：2024年度決算 概要

第2部：2025年度通期 見通し

第3部：事業戦略の展開

目次

第1部：2024年度決算 概要

第2部：2025年度通期 見通し

第3部：事業戦略の展開

2024年度 損益計算書

2024年度 業績ハイライト

- 売上高は24.5億円：ジェネリックの浸透、薬価切下げ、及び感染症対応による使用制限の影響
- 売上総利益は18.7億円：利益率は薬価下落等により76.4%に減少
- 販売費及び一般管理費は57.4億円：BCVの開発本格化により、開発費は前年比7.4億円増加し33.8億円
- 営業損益は38.8億円の損：売上総利益の減少に加え、BCV開発費の増加
- 当期純損益は38.3億円の損：特別損失1.3億円（主にソフトウェア減損）を合わせ 前年比損金18.7億円増加

(単位：百万円)	2024年度 実績	2023年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	2,452	5,589	△ 3,136	-56.1%
製品売上	2,452	5,589	△ 3,136	-56.1%
売上原価	579	1,178	△ 598	-50.8%
売上総利益	1,873	4,411	△ 2,537	-57.5%
販売費及び一般管理費	5,750	5,222	527	10.1%
研究開発費	3,379	2,638	741	28.1%
営業損益	△ 3,876	△ 811	△ 3,065	-
当期純損益	△ 3,833	△ 1,962	△ 1,870	-

(単位：百万円)

※金額は単位未満を切り捨てて表示

2024年度 貸借対照表

2024年度
決算概要

2024年度 業績ハイライト

- 流動資産は49.2億円（うち現金及び預金は39.6億円、売掛金4.2億円）
- 資産合計は49.7億円
- 第三者割当により7.3億円資金調達
- 自己資本比率は、78.0%
- 2024年12月、最大24億円の新株予約権付社債発行契約を締結、2025年上半期に実施

(単位：百万円)	2024年12月末	2023年12月末	増減
流動資産	4,924	8,082	△ 3,158
現金及び預金	3,963	6,517	△ 2,553
固定資産	44	87	△ 43
資産合計	4,968	8,170	△ 3,201
流動負債	766	956	△ 190
固定負債	4	3	0
純資産（株主資本等）	4,197	7,209	△ 3,012
負債純資産合計	4,968	8,170	△ 3,201

※金額は単位未満を切り捨てて表示

(注) 2024年度為替レート: 期中平均 151.69円、12月末 158.18円



目次

第1部：2024年度決算 概要

第2部：2025年度通期 見通し

第3部：事業戦略の展開

2025年度 通期業績予想

2025年度
通期見通し

2025年度 通期業績予想 のハイライト

- 売上高は18.6億円：ジェネリックの浸透及び薬価切下げの影響を見込む
- 売上総利益は13.6億円：利益率は薬価下落等により73.0%を見込む
- 販管費は56.2億円：BCV開発本格化（P3試験開始、P2及びP1b試験実施）により研究開発費は36.6億円に増加
- 営業損益は42.6億円の損失
- 当期純損益は44.7億円の損失

(単位：百万円)	2025年度 業績見通し	2024年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	1,858	2,452	△ 594	-24.3%
製品売上	1,858	2,452	△ 594	-24.3%
売上原価	501	579	△ 78	-13.6%
売上総利益	1,357	1,873	△ 516	-27.6%
販売費及び一般管理費	5,620	5,750	△ 130	-2.3%
研究開発費	3,661	3,379	281	8.3%
営業損益	△ 4,263	△ 3,876	△ 386	-
当期純損益	△ 4,468	△ 3,833	△ 634	-

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(注) 2025年度予想為替レート：¥150/\$



目次

第1部：2024年度決算 概要

第2部：2025年度通期 見通し

第3部：事業戦略の展開

2030年に向けて、 **第二の創業**

グローバル・スペシャリティファーマ の創生

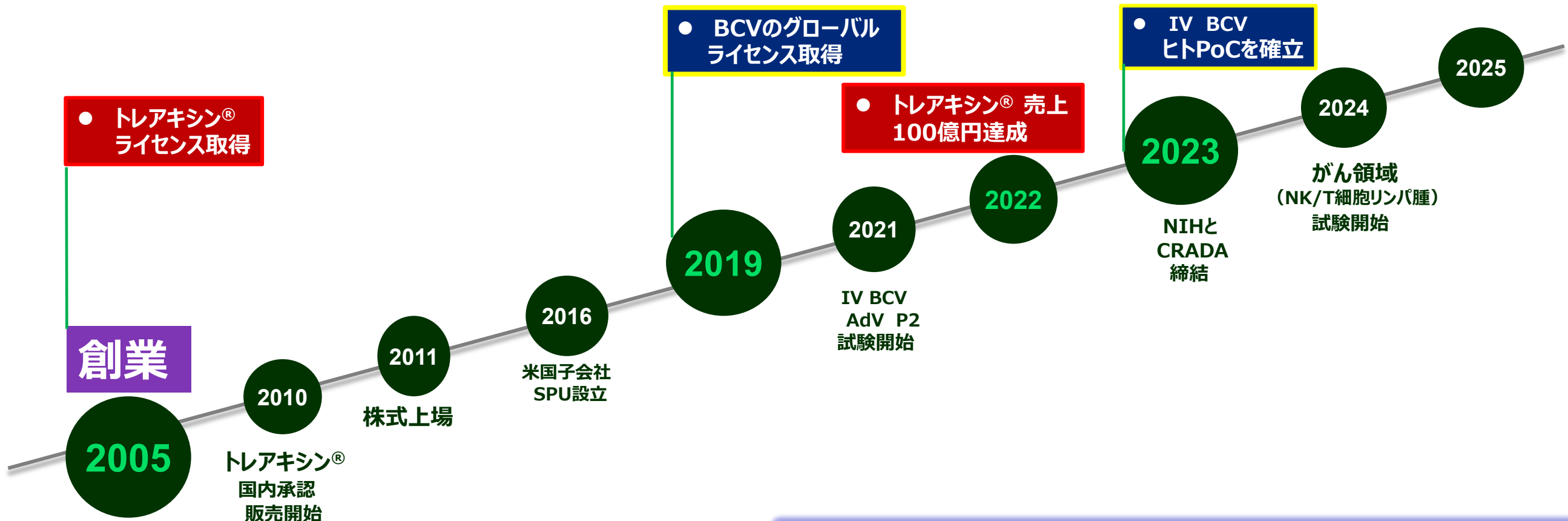
経営のキーワード →

- “Local & Global”
- “50・50 in 2030”



シンバイオ製薬 創業20年の変遷

不変の理念で、「空白の治療領域」に挑み続けた 創業の20年間



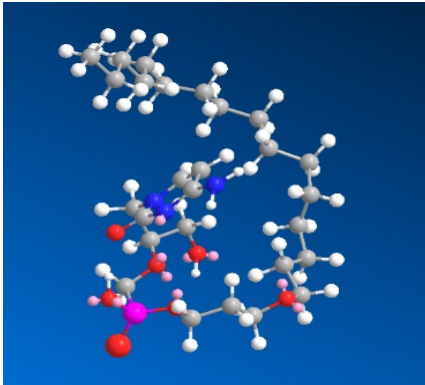
第二の創業 ⇒ "50・50 in 2030"

創業の10年 ⇒ 自社販売による黒字化

【BCVの優位性】

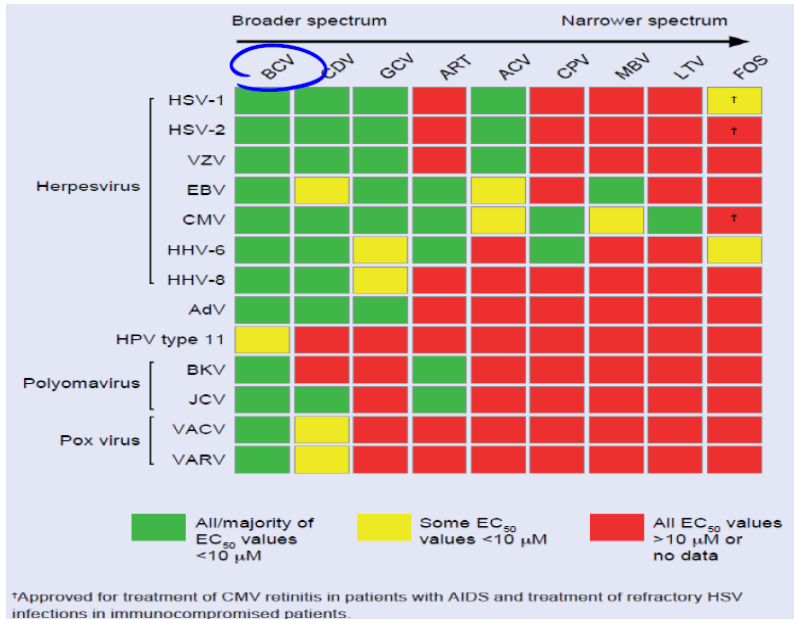
- ① 広域スペクトラム
- ② 高ウイルス活性
- ③ 抗がん活性

ゲームチェンジャー・ポテンシャル



- 広範囲の2本鎖DNAウイルスに対する、高い抗ウイルス活性
- 他の抗ウイルス剤がもつ 深刻な副作用である 腎毒性及び骨髄抑制がない
- 高い抗がん活性をもち、多くのがん種に適応が可能
- 血液脳関門 (BBB)の高い通過性

ブロードのスペクトル



高い抗ウイルス活性

抗ウイルス活性 IC50 (μM)

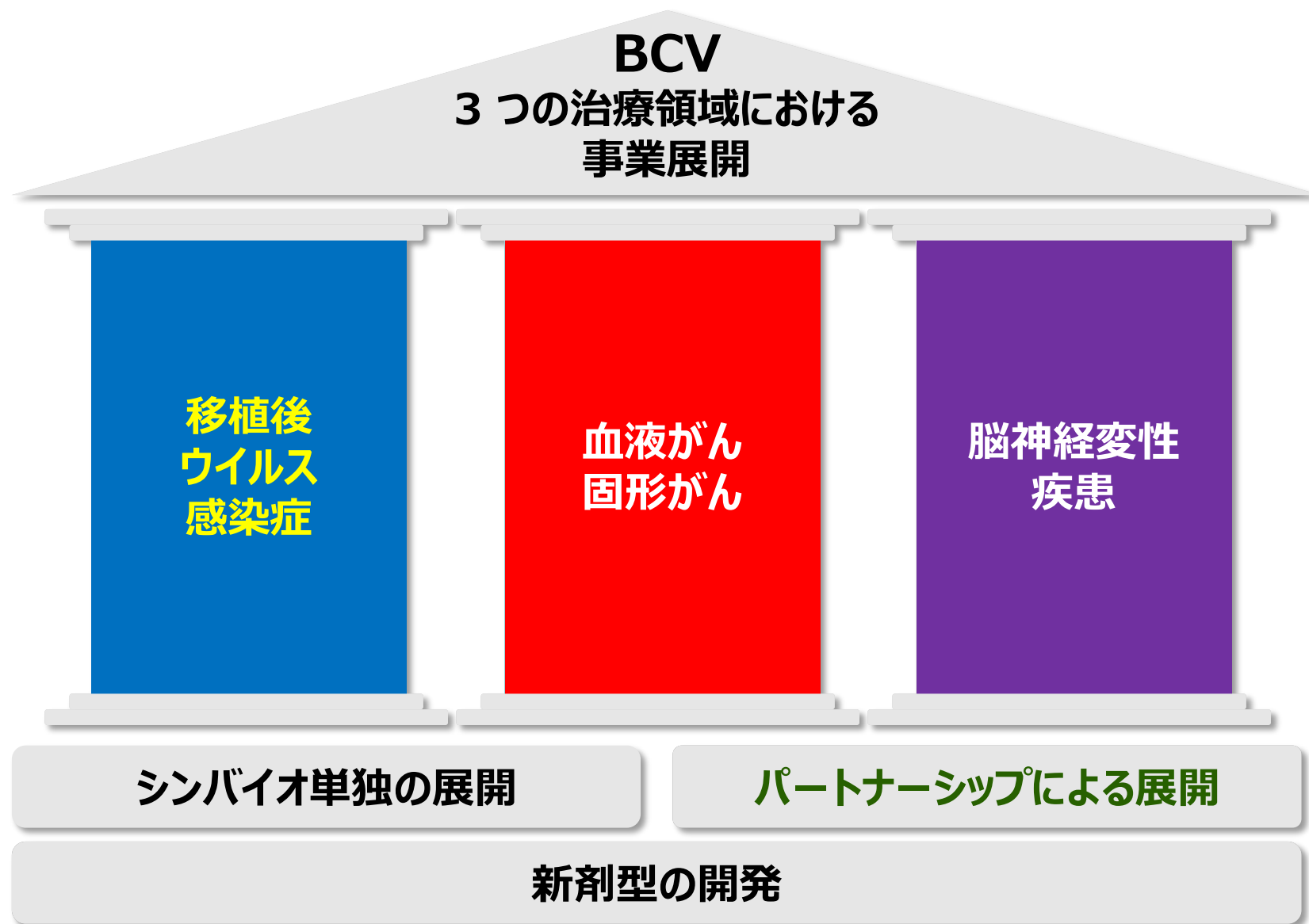
ウイルス科	ウイルス	略称	BCV	Cidofovir	Maribavir	Letermovir	Ganciclovir	Foscarnet	Acyclovir
ヘルペスウイルス科	サイトメガロウイルス	CMV	0.001	0.4	0.31	0.005	3.8	50-800	>200
	エプスタイン・バー ウイルス	EBV	0.03	65.6	0.63	>10	0.9	<500	6.2
	ヒトヘルペスウイルス6	HHV-6	0.003	2.7	Inactive	>10	5.8	16	10
	カポジ肉腫関連ヘルペスウイルス	HHV-8	0.02	2.6	Inactive	—	8.9	177	>100
	単純ヘルペスウイルス1型	HSV-1	0.01	3	Inactive	>10	0.7	92-95	3.8
	単純ヘルペスウイルス2型	HSV-2	0.02	6.5	Inactive	>10	2.5	91-96	4.4
	水痘・帯状疱疹ウイルス	VZV	0.0004	0.5	Inactive	>10	1.3	39.8	3.6
	アデノウイルス科	アデノウイルス	AdV	0.02	1.3	—	>10	4.5-33	Inactive
ポリオーマウイルス科	BKウイルス	BKV	0.13	115	—	—	>200	Inactive	>200
	JCウイルス	JCV	0.045	>0.1	—	—	—	Inactive	—
パピローマウイルス科	ヒトパピローマウイルス	HPV	17	716	—	—	Inactive	—	Inactive
ポックスウイルス科	天然痘ウイルス	VARV	0.1	27	—	—	—	—	—
	ワクシニアウイルス	VACV	0.8	46	—	—	>392	Inactive	>144

➔ “複数の疾患領域をターゲット” に事業化が可能



3 治療領域 選択と集中し 同時事業展開

(3X3) ⇒ “オプションリティ” を追求



事業ドメイン (疾患領域) を掘り下げる 研究開発戦略

世界の知を取り込む、最高峰の研究グループとの共同研究を推進

移植後 ウイルス感染症



ペンシルベニア州立大学
ポリオーマウイルス感染症



血液がん・固形がん



CRADA

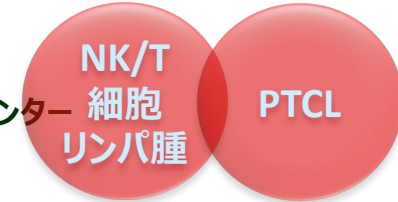
NIAID国立感染症・アレルギー研究所
EBウイルス: リンパ増殖性疾患



カリフォルニア大学サンフランシスコ校
膠芽腫 (GBM)

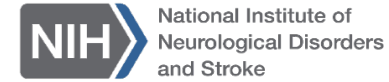


シンガポール国立がんセンター
EBウイルス: リンパ腫



グスタフルーシー研究所 (フランス)
複数の固形がん

脳神経変性疾患



CRADA

NINDS国立神経疾患・脳卒中研究所
EBウイルス: 多発性硬化症



タフツ大学
HSV-1: アルツハイマー型認知症

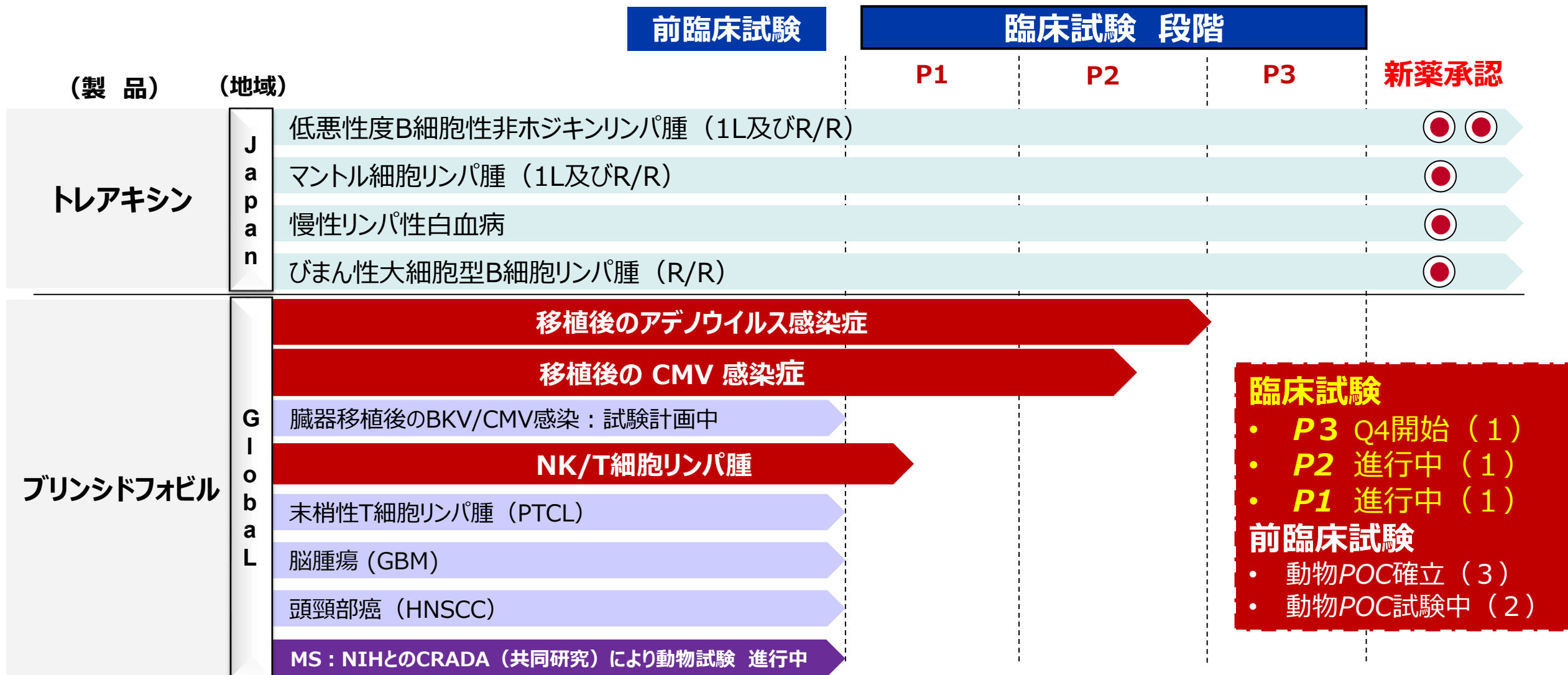


事業の選択肢の多様化 →→→

パイプラインの “オプションリティ” (Optionality) を追及

バランスの取れた **パイプライン戦略** の展開

- **BCV1** 剤により、**複数の治療領域、グローバル市場** ⇒ **“オプションリティ”** の担保



臨床試験

- P3 Q4開始 (1)
- P2 進行中 (1)
- P1 進行中 (1)

前臨床試験

- 動物POC確立 (3)
- 動物POC試験中 (2)



“オプションリティ” (Optionality) の意味 “選択肢を持つこと・持てる状態”

パイプライン戦略

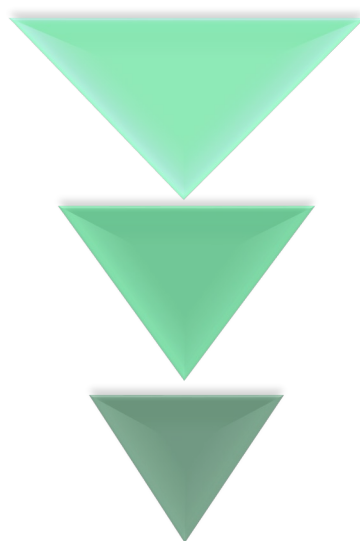
ダウンサイドリスクの最小化とアップサイドの最大化により、パイプラインの最適な組み合わせ(ポートフォリオ)を追求する ⇒ 事業価値の最大化

開発プロジェクト

- 開発の難易度・成功確率
- 承認までの開発時間
- 開発投資金額
- 医療ニーズ
- 潜在市場規模

経営判断

- 経営環境
- ポートフォリオ戦略
- 投資効率
- リスク許容度
- 資金調達



“選ぶことができる” ⇒ パイプラインの最適化 ⇒ “事業価値の最大化”

【マルチ治療領域 同時展開 + 事業のグローバル化】

【50:50 in 2030】 に向けて、着実にトランスフォーメーションを継続

第二の創業


前期 (2020年~2024年)

- 移植後のAdV POC 達成
- 移植後のCMV P2試験 開始
- NK/T細胞リンパ腫 P1b試験 開始
- 脳腫瘍 動物モデル POC確立
- NIHとの共同研究により、多発性硬化症 動物モデル試験 → POCを目指す
- タフツ大学との共同研究により3D脳モデルでアルツハイマー型認知症に対する効果の検証

後期 (2025年~2029年)

- 移植領域及び血液腫瘍 承認取得を目指す
- 固形がん領域 グローバル試験 展開
- 脳神経変性症 グローバル試験 展開
- 商業化 (単独+グローバルアライアンス)
- 日本市場向け 新規ライセンス導入

2030



**造血幹細胞移植後・臓器移植後
DNAウイルス感染症領域**

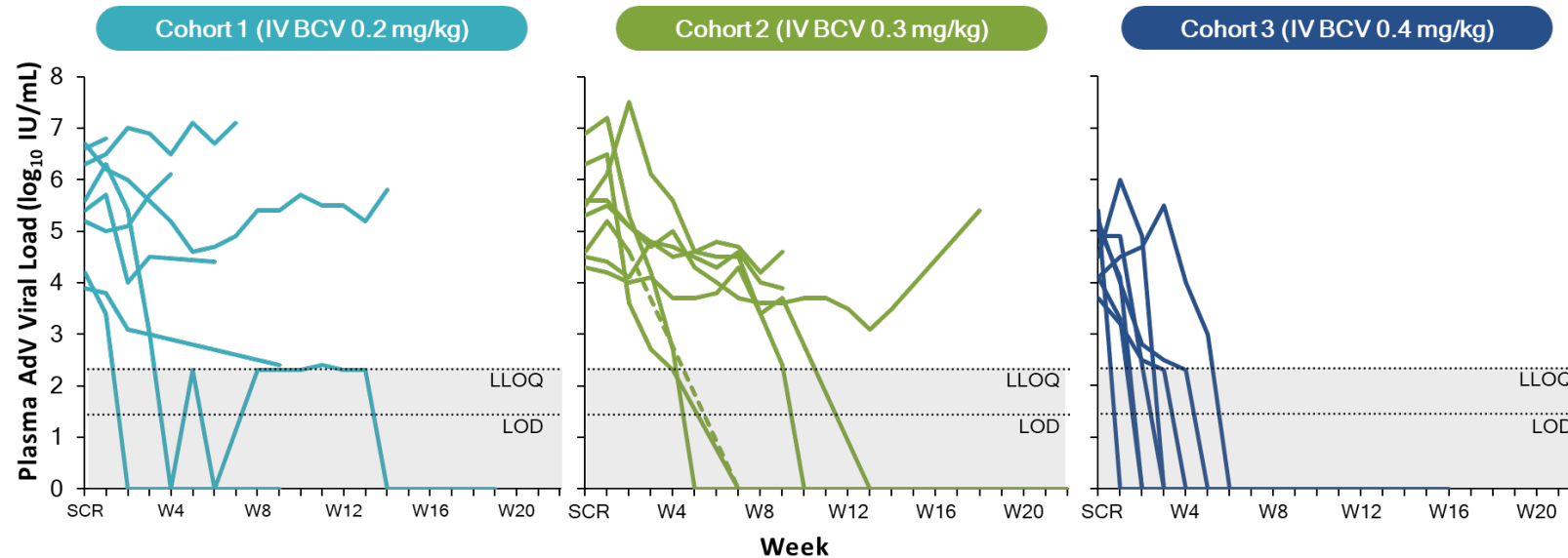
移植後ウイルス感染症 アデノウイルス感染症 (AdV)

第Ⅱ相臨床試験 POC を達成 ⇒ グローバルP3 臨床試験 Q4開始予定

安全性、忍容性及び抗ウイルス活性の評価

移植後 ウイルス感染症

- 移植後AdV感染症対象とした**P3試験開始** (Q4)
- 移植後のCMV感染症を対象としたP2実施中
- 臓器移植後のBKV/CMV感染症を対象とした臨床試験を検討中
- ベッドサイドモニタリング用・簡易型 高感度ウイルス量測定システムのプロトタイプの開発を完了



有効性

ウイルス消失が100%の患者で達成 (0.4mg/kg BIW)

4週間以内に~90%の症例においてウイルスのクリアランスを達成

安全性

安全性と忍容性の確認

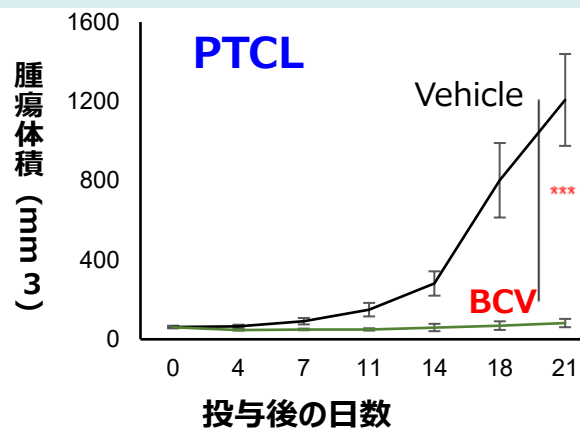
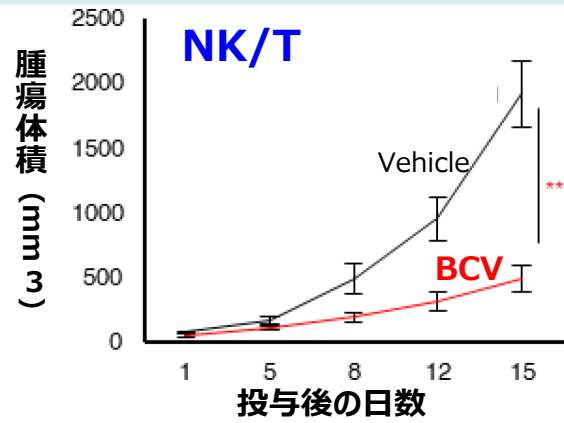
注射剤BCVでは、(経口投与BCVでみられた) 重篤な消化器及び肝毒性は認められなかった

血液がん及び固形がん

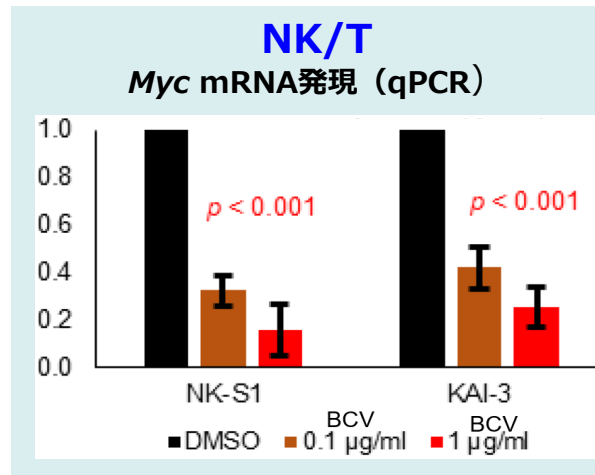
悪性リンパ腫 国際共同 I b 臨床試験 症例登録を開始

→ 主に、NK/T細胞リンパ腫 及び PTCL を対象

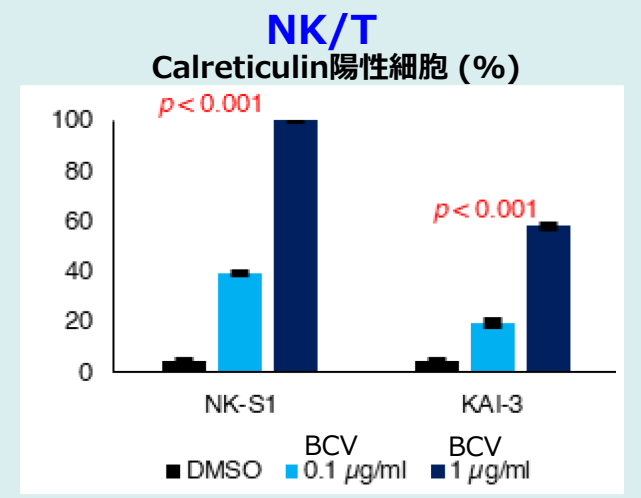
抗腫瘍活性



がん遺伝子Mycの発現抑制



免疫原性細胞死 (ICD)

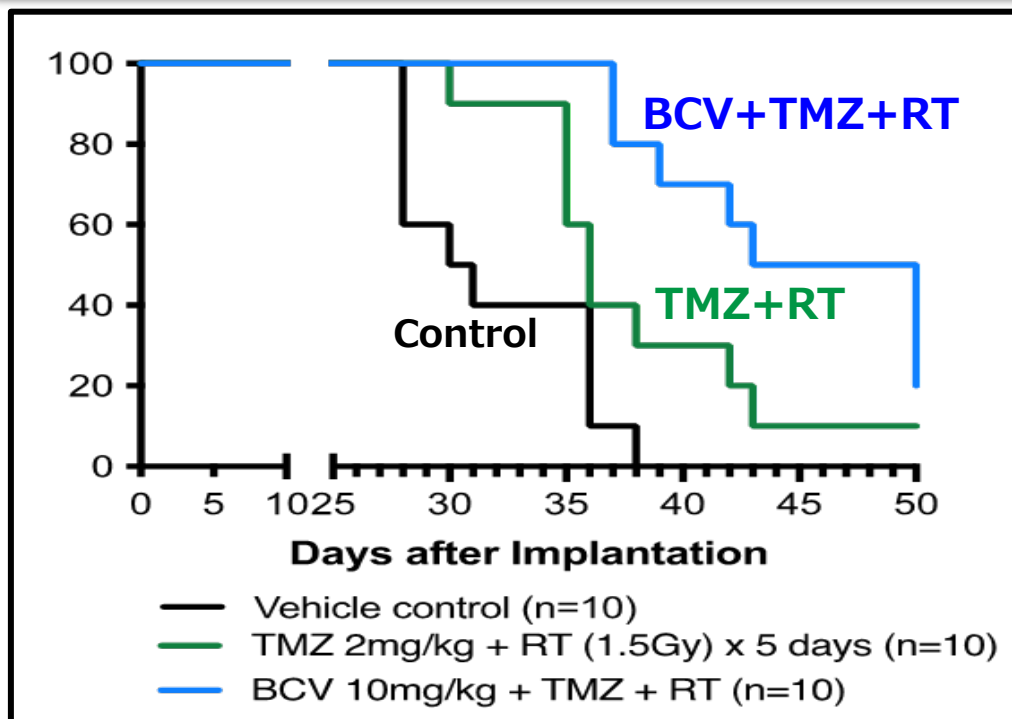


- NK/T細胞リンパ腫やPTCLの動物モデルで強い腫瘍増殖抑制を確認
- BCVは、免疫原性細胞死(ICD)を誘導し、細胞死を起こした
- NK/T細胞株におけるがん遺伝子Mycの発現を抑制

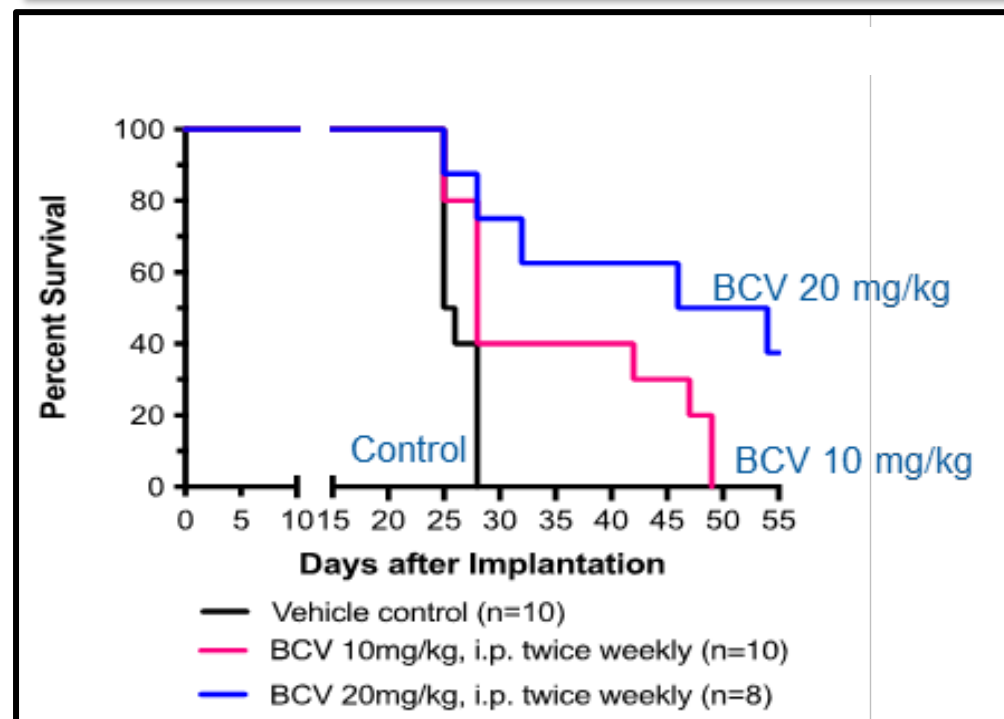
脳腫瘍

BCVと標準療法との併用療法 及び 単剤療法
標準療法・対照に比べ、有意に生存期間を延長

CDXモデル：BCV + 標準療法 (RT + TMZ)



PDXモデル：BCV単剤療法



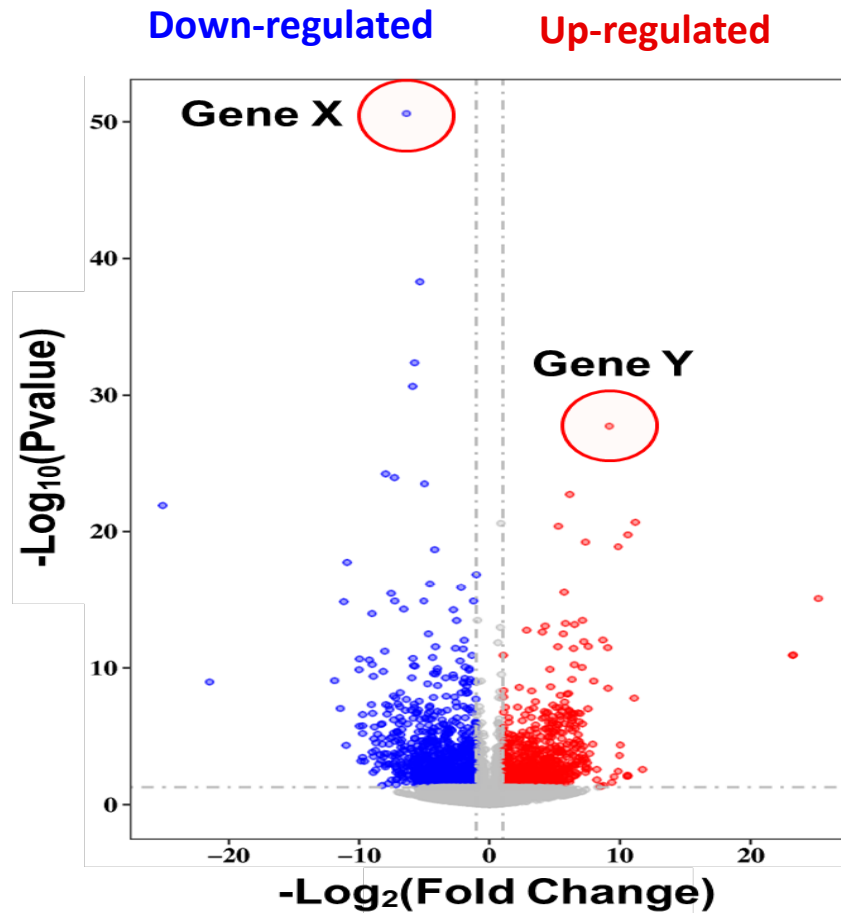
- 標準療法 (RT+TMZ) とBCVとの併用により、有意に生存期間を延長
- BCV単剤療法においても対照に比べ、有意に生存期間を延長

脳腫瘍

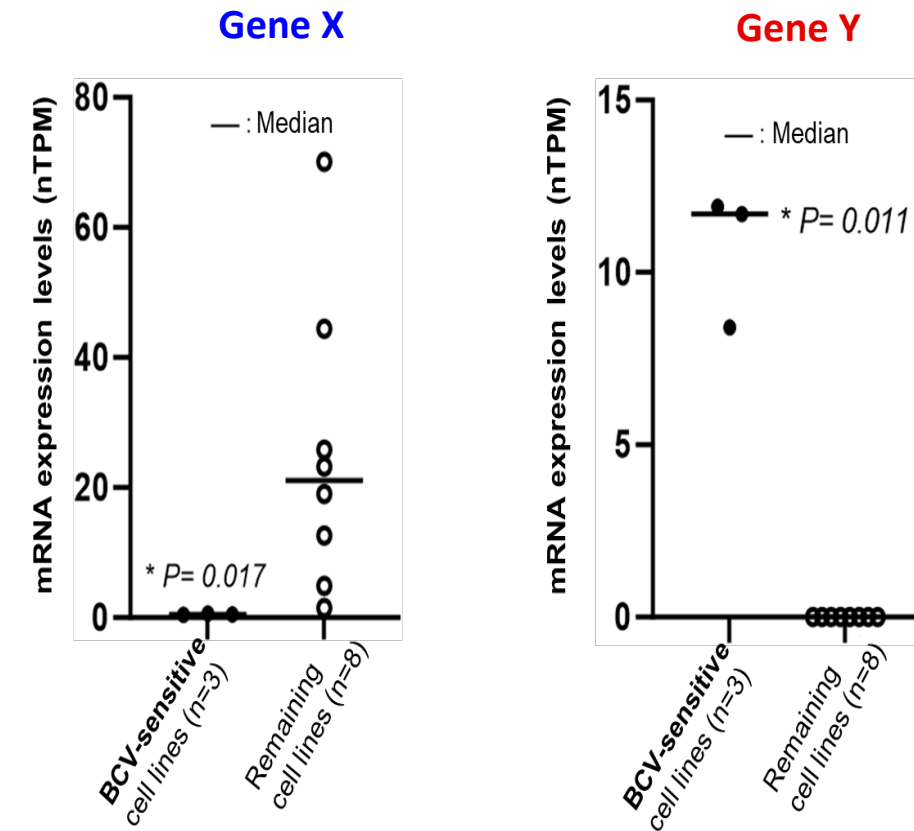
バイオマーカー候補（遺伝子X及び遺伝子Y）を発見 ⇒ 特許出願

BCVに感受性がある患者の絞り込み → **有効性** を高める可能性

Volcanoプロットによる バイオマーカー候補の同定



GBM細胞株における mRNA発現レベル



- 「Gene X発現が低い」 and/or 「Gene Y発現が高い」 場合は、BCVに対してより高い感受性を示す可能性
- ①BCVのレスポンドーの特定、②BCVの奏効と試験の成功確率の向上、及び③ 試験期間と開発費節減

血液がん・固形がん領域 の戦略

アンメットニーズが高い治療領域 選択と集中し事業展開

血液がん

固形がん

頭頸部がん (HNSCC)

免疫チェックポイント阻害薬 (ICI) との相乗効果の検証。他の固形がんへの可能性

脳腫瘍 (GBM)

2025年H2に 脳腫瘍 対象として、P1bを開始、他の固形がんへ拡大

NK/T 及びPTCL

2024年Q4にP1bを開始、安全性、PK/PD、及び抗腫瘍効果の確認

BCVの抗がん活性の作用機序 (MOA)

BCVは、**正常細胞にダメージを与えることなく、がん細胞を選択的に攻撃**

- 二本鎖DNAの切断 → 腫瘍細胞で修復システムが破綻→細胞死
- Myc mRNA発現の抑制作用
- STING経路の活性化 → 免疫原性細胞死 (ICD)
- PD-L1 の誘導 → ICI併用のメリット

血液がん・固形がん領域 の戦略

「空白の治療領域」にフォーカス、グローバルの事業展開

PTCL

患者数
(米国、EU5、日本)

~11,000人

2030年
世界市場規模 (予)

>3,000億円

アドセトリス® (CD30+) と化学療法以外の選択肢に限られており、1L及び再発難治患者に対する有効性と安全性の改善に期待

標準治療と比較して毒性が低い
有効性の改善

脳腫瘍 (GBM)

患者数
(米国、EU5、日本)

~22,000人

2030年
世界市場規模 (予)

>1,500億円

非メチル化/TMZ抵抗性患者及び再発難治患者に対する、より持続的で高い奏効率に対する期待

TMZ抵抗性に対して
有効な選択肢

頭頸部がん

患者数
(米国、EU5、日本)

~181,000人

2030年
世界市場規模 (予)

>6,000億円

抗PD-1療法を超える有効性、及び標準化学療法と比べ安全性の大幅な改善に対する期待

標準療法のプラチナ製剤
を置き換える可能性

医療ニーズ

BCVの
潜在的価値

脳神経変性疾患

多発性硬化症 NIHとの共同研究の成果 ⇒ 特許出願

BCVによるEBV(+)B細胞の選択的阻害 ⇒ “First in Class”

“EBVは多発性硬化症の主たる原因” (サイエンス誌 2022/1/13)
ハーバード大チーム、疫学的研究により実証

Inhibition of EBV-by the nucleotide analog Brincidofovir in spontaneous induced EBV lymphoblastoid cell lines from multiple sclerosis patients

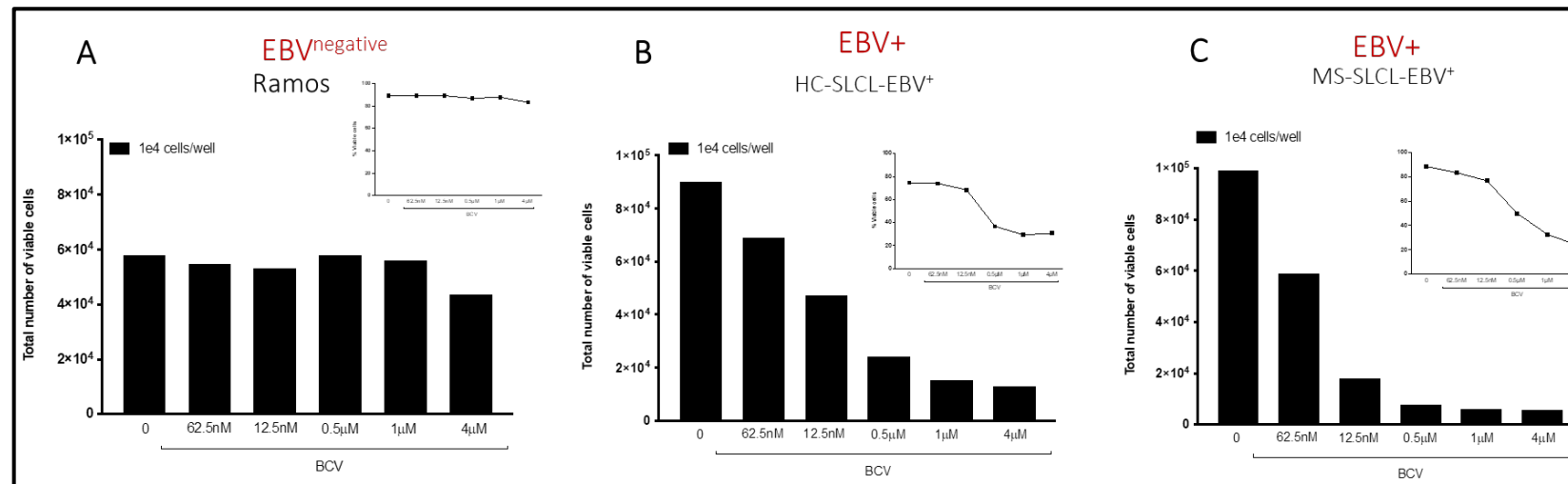
Maria Chiara Monaco¹, William Frazier¹, Annaliese Clauze¹, Frances Andrada¹, Joan Ohayon¹, Masatoshi Hazama², Koji Fukushima², Fuminori Yoshida², and Steven Jacobson¹

¹Viral Immunology Section, NINDS, NIH

²SymBio Pharmaceuticals Limited., Tokyo, Japan



Dr. Steve Jacobson PhD
Senior Investigator,
Viral Immunology Section



BCVはEBV陽性-SLCLの細胞数を減少させるが、EBV陰性B細胞株の細胞数は減少させない

➔ アメリカ国立衛生研究所との共同研究 動物モデル試験進行中

マーモセットの試験



アルツハイマー型認知症 と ウイルス感染症 が 高いリスク相関

Neuron誌 (2023年1月19日)

Please cite this article in press as: Levine et al., Virus exposure and neurodegenerative disease risk across national biobanks, Neuron (2022), <https://doi.org/10.1016/j.neuron.2022.12.029>

Neuron

CellPress
OPEN ACCESS

Report Virus exposure and neurodegenerative disease risk across national biobanks

Kristin S. Levine,^{1,2,8} Hampton L. Leonard,^{1,2,3,4,6} Cornelis Blauwendraat,^{1,3} Hirotsuka Iwaki,^{1,2,3} Nicholas Johnson,^{1,2} Sara Bandres-Ciga,¹ Luigi Ferrucci,² Faraz Faghri,^{1,2,3} Andrew B. Singleton,^{1,2} and Mike A. Nalls^{1,2,3,4,5}
¹Center for Alzheimer's and Related Dementias (CARD), National Institute on Aging and National Institute of Neurological Disorders and Stroke, National Institutes of Health, Bethesda, MD, USA
²Data Tecnica International LLC, Washington DC, USA
³Laboratory of Neurogenetics, National Institute on Aging, National Institutes of Health, Bethesda, MD, USA
⁴University of Tuebingen, Tuebingen, Germany
⁵Longitudinal Studies Section, National Institute on Aging, National Institutes of Health, Baltimore, MD, USA
⁶These authors contributed equally
⁷Correspondence: nallsm@nih.gov
<https://doi.org/10.1016/j.neuron.2022.12.029>

SUMMARY

With recent findings connecting the Epstein-Barr virus to an increased risk of multiple sclerosis and growing concerns regarding the neurological impact of the coronavirus pandemic, we examined potential links between viral exposures and neurodegenerative disease risk. Using time series data from FinnGen for discovery and cross-sectional data from the UK Biobank for replication, we identified 45 viral exposures significantly associated with increased risk of neurodegenerative disease and replicated 22 of these associations. The largest effect association was between viral encephalitis exposure and Alzheimer's disease. Influenza with pneumonia was significantly associated with five of the six neurodegenerative diseases studied. We also replicated the Epstein-Barr/multiple sclerosis association. Some of these exposures were associated with an increased risk of neurodegeneration up to 15 years after infection. As vaccines are currently available for some of the associated viruses, vaccination may be a way to reduce some risk of neurodegenerative disease.

INTRODUCTION

Recent research has shown a definitive association between an increased risk of multiple sclerosis and prior infection with the Epstein-Barr virus (EBV).¹ Additional concerns regarding the potential short and long-term cognitive impact of the current coronavirus pandemic have raised the priority of investigating the potential connection between viral exposures and neuro-

report aims to survey longitudinal and cross-sectional associations between viral exposures and NDDs in an unbiased manner. Additionally, we aimed to shed light on the relationship in timing between pre-, post-, and peri-diagnostic viral exposures and how they relate to NDD risk.

RESULTS

- NIHがフィンランド(30万人)と英国(50万人)の医療データ(EMR)を解析
- アルツハイマー型認知症などの脳神経変性疾患患者とウイルス感染歴に関連があるかを検証
- ウイルス性脳炎があった患者は、そうでない人より 31倍アルツハイマー型認知症を罹患しやすい
- EBウイルスが多発性硬化症のリスクを高めることもあらためて検証された

ハーバード大学マサチューセッツ総合病院と同大・神経科学者、タンジ教授、共同研究者のモイア同大学医学部准教授は、**ウイルス関与説** に基づく研究を長年続けてきた

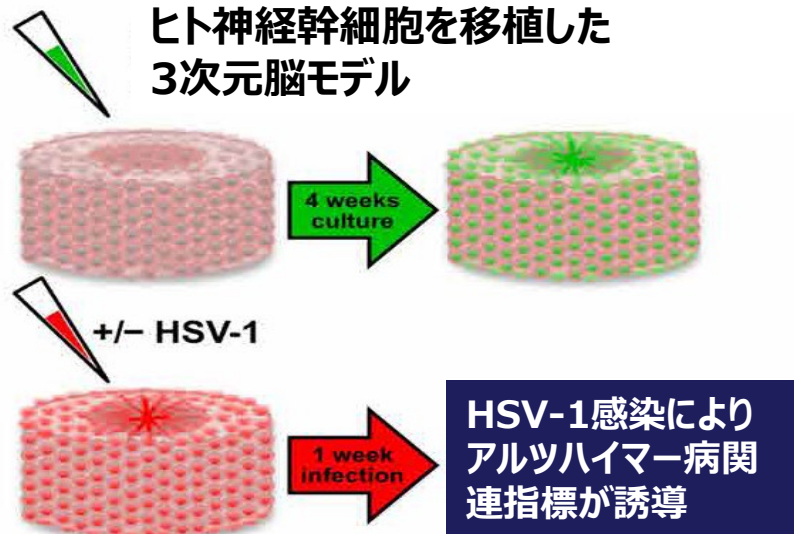
ウイルス感染がアミロイド仮説の原因になっている。アミロイドは例えるならマッチで、タウの線維の絡まりは火がつくと野火のように燃え広がり、ニューロンを死滅させます。**マッチを発火させるのがウイルス**なのです

タンジ教授ら研究者は、アルツハイマー病の治療法として、**多剤併用に行き着く**のではないかと示唆する

➡ アミロイドに早期に作用する薬と、タウの線維の絡まりに早期に作用する薬と、神経の炎症に作用する薬、それに**抗ウイルスの薬を加えて**はどうか

BCVによる HSV-1誘導アミロイド凝集 の抑制 ⇒ 特許出願 アルツハイマー型認知症の治療法になり得る可能性 ⇒ "First in Class"

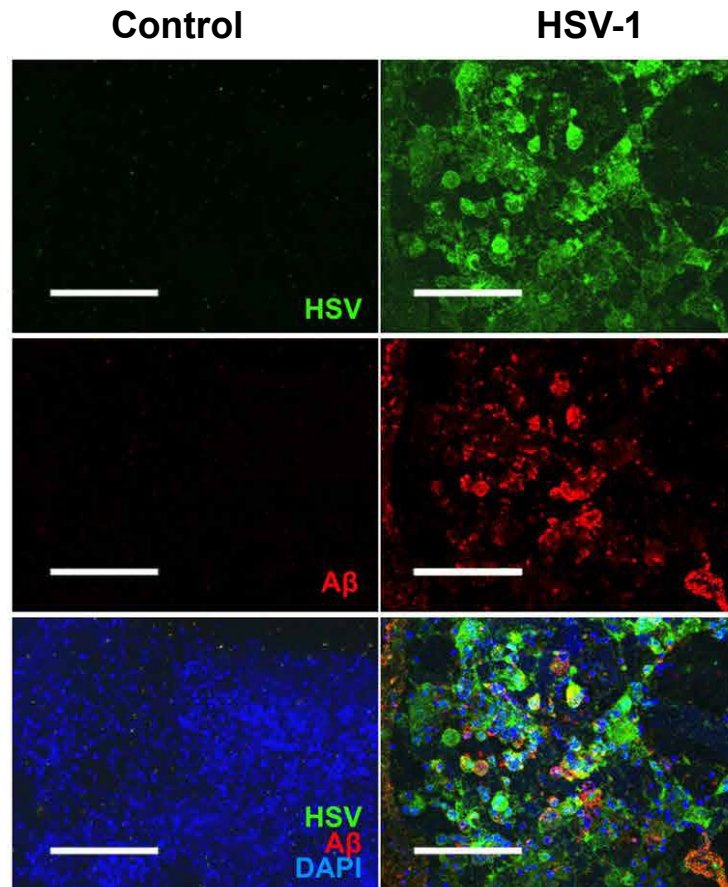
タフツ大のヒト3次元脳モデル



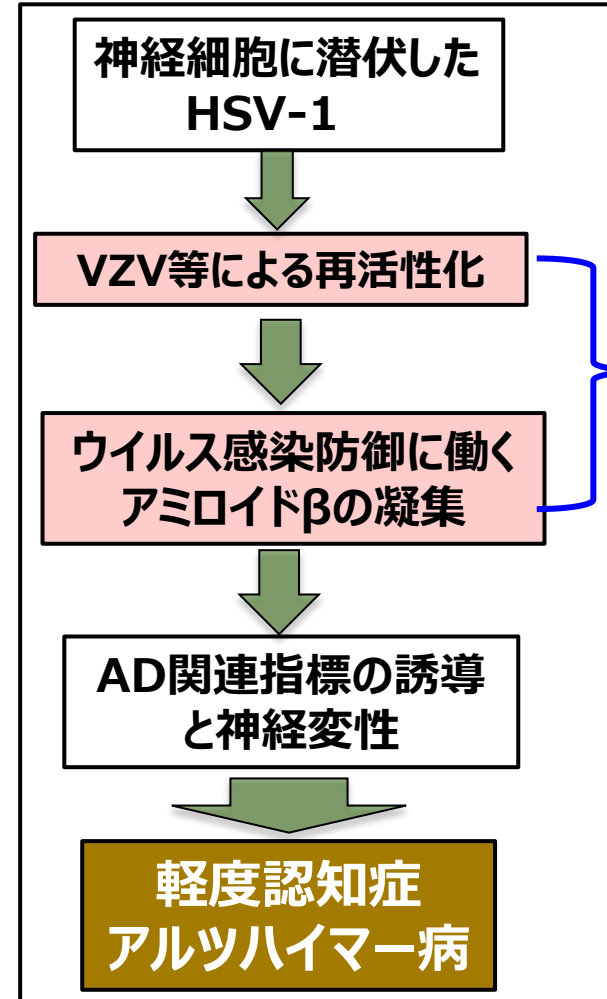
HSV-1感染 3D脳モデル BCVによるAD関連指標の抑制

- アミロイドβ凝集
- リン酸化Tau
- 活性化グリオシス
- 神経変性
- 炎症

HSV-1感染による アミロイドβの凝集



高ADリスク 患者対象
ApoE3/4



BCVによる治療対象

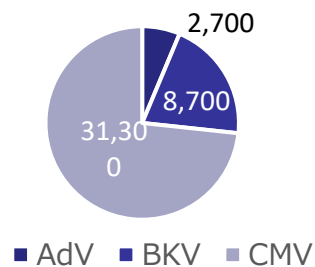
空白の治療領域において、“小さく生んで、大きく育てる”

“オプションリティ”をもつ 事業モデルの強み

各疾患領域の年間患者数（人）

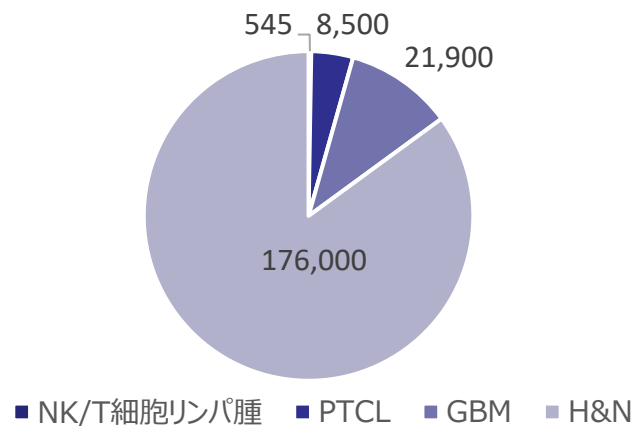
移植後感染症

>約4万人



血液がん・固形がん

>約20万人



脳神経変性疾患

>約990万人

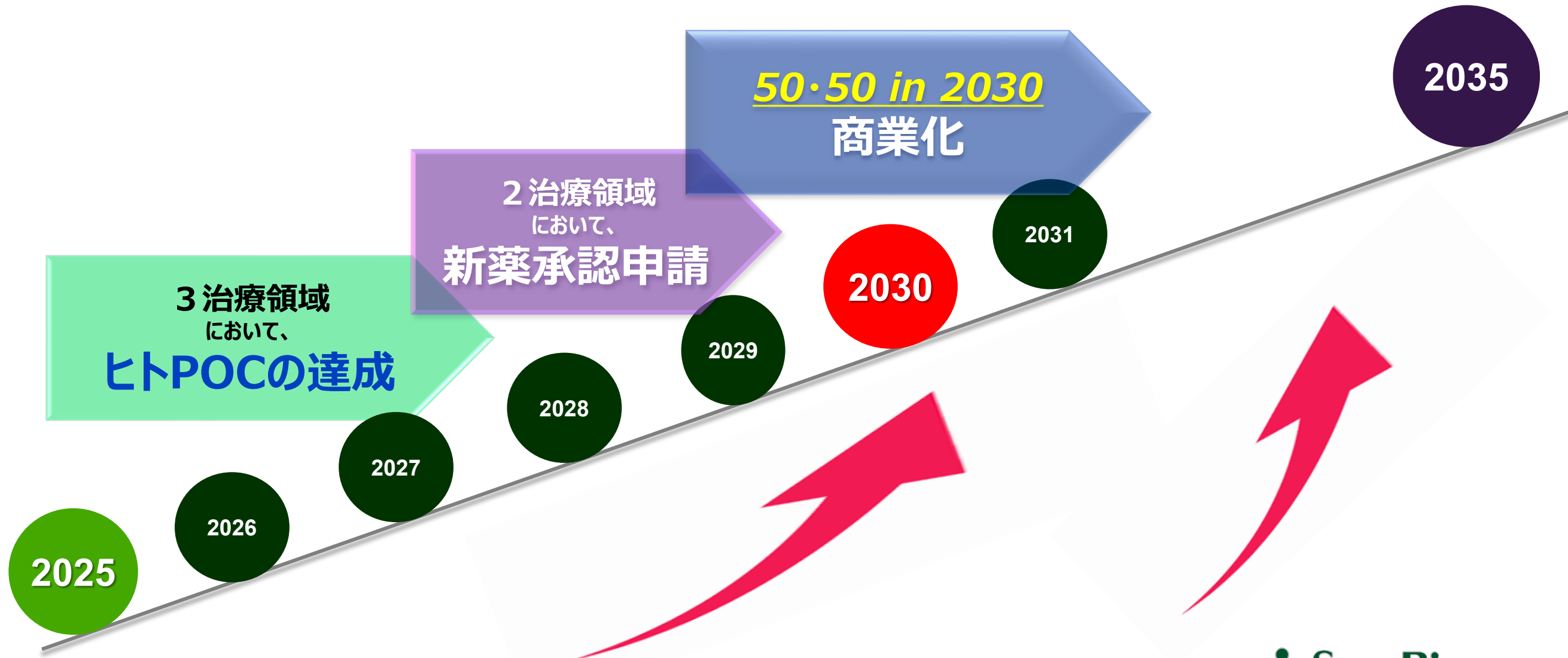
7,600,000

■ MS ■ MCI/AD

2,332,000

2030に向けた **成長戦略 展開** のイメージ
"オプションリティ" をフルに活かし、**事業価値の最大化**

→ 常に、**"Follow the science, Follow the data, Follow the patient"**



“Pipeline by design”

- 1 “オプションリティ” (3X3)
- 2 3つの治療領域 に分散した事業ドメイン
- 3 日米欧を含めた グローバルの事業展開
- 4 医療ニーズが高い「空白の治療領域」にフォーカス
- 5 高齢化社会の 多様な医療ニーズ への対応
- 6 “小さく生み、大きく育てる”

2025年度 マイルストーン

2025年度 主要マイルストーン

BCVプラットフォーム構築に向けて 3治療領域で同時開発



1 移植後 AdV感染症 P3試験 開始 (Q4)

2 移植後 CMV感染症 P2試験 POC確立 (Q3)

3 NK/T細胞リンパ腫 P1b試験による POC確立 (Q4)

4 脳腫瘍 (GBM) P1b試験 開始 (Q4)

5 多発性硬化症の動物POC確立 (Q2)
→ NIHと共同研究により、FIH試験の検討 (Q4)

6 BCVのグローバルパートナーリング (Q4)
国内 新規ライセンス導入 (Q3)

ディスクレームー

本プレゼンテーションにおいて提供される資料ならびに情報は、いわゆる「見通し情報」(forward-looking statements) を含みます。

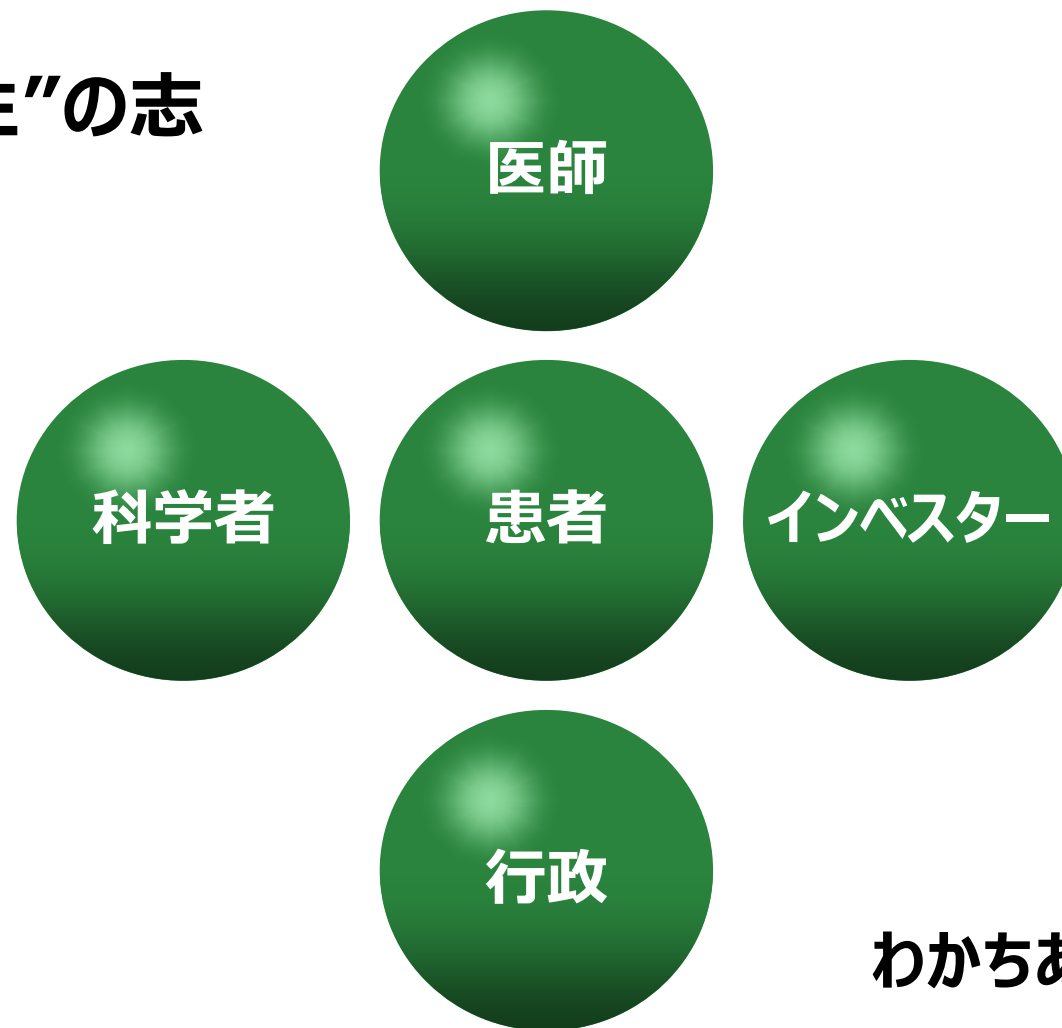
記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述とその他の過去の事実ではない記述は、シンバイオ製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は当社の現在入手可能な情報に依拠する見積りや想定によるものであり、既知及び未知のリスクと不確実な要素を含んでおり、様々な要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。

その要因としては、医薬品市場における事業環境の変化及び関係法規制の改正、規制当局からの承認取得、新製品開発に付随する課題等が含まれますが、これらに限定されるものではありません。

また、本プレゼンテーションに含まれている医薬品（開発中のものを含む）に関する情報は、宣伝 広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。開発中の化合物に関する情報は、その化合物の確立された安全性や有効性を示唆するものではなく、開発中の化合物が承認を受けることを保証するものでもありません。また、当社は、本資料に掲載された予測及び将来の見通しに関する記述等についてアップデートする義務を負うものではありません。

ご清聴ありがとうございました

“共創・共生”の志



わかちあう、創薬の喜び