

事業計画及び成長可能性に関する事項

(4582) シンバイオ製薬株式会社

2025年3月31日

目次

第1部：ビジネスモデル	3
第2部：市場環境等	10
第3部：競争力の源泉	15
第4部：事業計画	22
第5部：リスク情報	36

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境等

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

会社概要

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	18,336,841千円 (2024年12月31日現在)			
取締役	吉田 文紀 松本 茂外志 海老沼 英次 ブルース・デビッド・チェソ	代表取締役 取締役 (社外) 取締役 (社外) 取締役 (社外)	ジョージ・モースティン 今別府 敏雄 ラルフ・スモーリング	取締役 (社外) 取締役 (社外) 取締役 (社外)
監査等委員である 取締役	渡部 潔 賜 保宏	取締役 常勤監査等委員 (社外) 取締役 監査等委員 (社外)	下村 恒一	取締役 監査等委員 (社外)
執行役員	吉田 文紀 田口 賢 福島 隆章	社長執行役員兼CEO 副社長執行役員兼COO (シンバイ オファーマUSA CEO兼社長) 常務執行役員兼CFO	ポール・マーストン 福島 耕治 波佐間 正聡	執行役員兼ジェネラルカウンセル 執行役員兼Deputy CMO 執行役員兼CSO
子会社	SymBio Pharma USA, Inc. (シンバイオ ファーマ ユーエスエー インク) 米国ノースカロライナ州 ダーラム SymBio Pharma Ireland Limited (シンバイオ ファーマ アイルランド リミテッド) アイルランド ダブリン			

沿革①

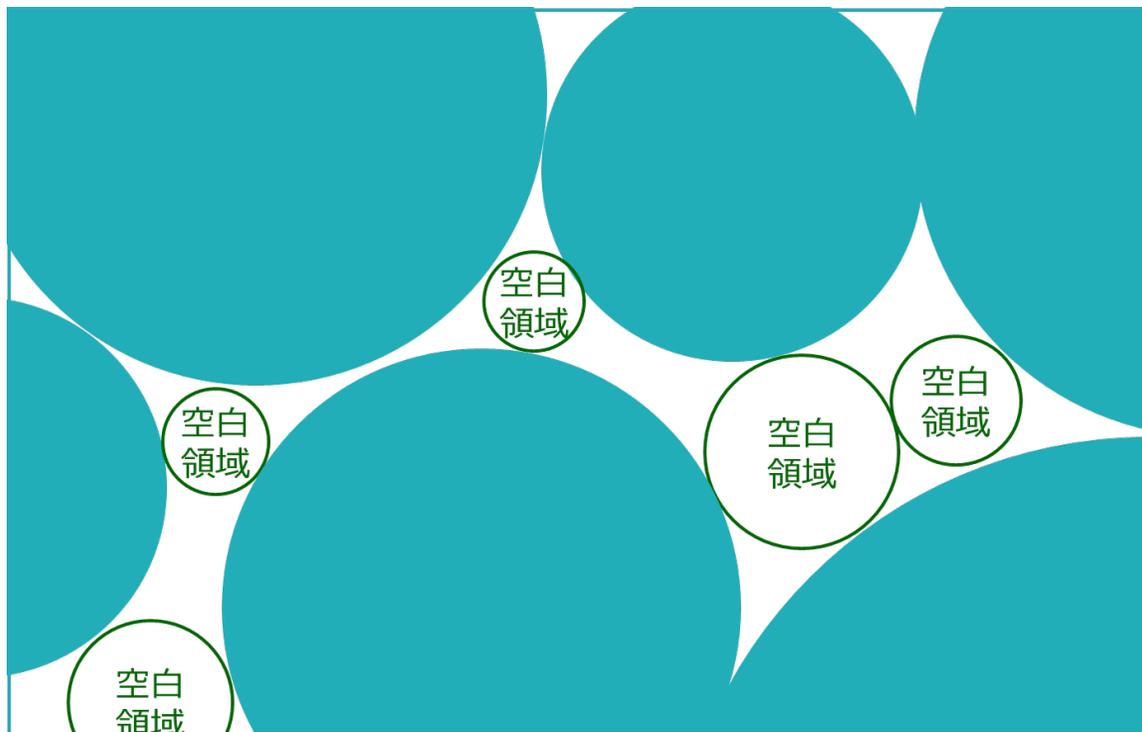
2005年3月	東京都港区において当社設立
2005年12月	アステラス・ファーマGmbH社(現 アステラス・ドイツラントGmbH社)とSyB L-0501の日本における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2006年 3月	東京都より医薬品製造業（包装、表示、保管）の許可取得（許可番号：13AZ200010号）
2007年 3月	アステラス・ドイツラントGmbH社より、SyB L-0501の中国、韓国、台湾およびシンガポールにおける独占的開発権および独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2008年 8月	イーザイ株式会社とSyB L-0501の日本における共同開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2009年 3月	セファロン社とSyB L-0501の中国における独占的開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2009年 5月	イーザイ株式会社とSyB L-0501の韓国及びシンガポールにおける独占的開発権及び独占的販売権を供与するライセンス契約を締結
2010年10月	再発・難治性の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫を適応症として、抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®(開発コード：SyB L-0501、一般名：ベンダムスチン塩酸塩)」の国内製造販売承認を取得
2010年12月	抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®(開発コード：SyB L-0501、一般名：ベンダムスチン塩酸塩)」を、再発・難治性の低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫を適応症として提携先のイーザイ株式会社を通じて国内販売を開始
2011年7月	オンコバ・セラピューティクス社とSyB L-1101(注射剤) / C-1101(経口剤)の日本及び韓国における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2011年10月	大阪証券取引所JASDAQ(グロース)(現東京証券取引所JASDAQ(グロース))に株式を上場
2014年 11月	本社を東京都港区虎ノ門へ移転
2016年 5月	米国カリフォルニア州メンローパークに子会社、シンバイオファーマUSA（非連結子会社）を設立
2016年8月	SyB L-0501の慢性リンパ性白血病に対する効能追加の承認を取得
2016年12月	SyB L-0501の未治療（初回治療）の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫に対する効能追加の承認を取得

沿革②

2017年9月	イーグル・ファーマシューティカルズ社との間でトレアキシシ® 液剤SyB L-1701(RTD 製剤) /L-1702(RI投与)の日本における独占的開発権及び独占的販売権の供与を受けるライセンス契約を締結
2018年7月	造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版に抗悪性腫瘍剤「トレアキシシ®」が標準的治療の選択肢として新たに収載
2019年9月	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 (brincidofovir : BCV) SyB V-1901の世界全域における開発・販売・製造を含めた独占的権利の供与を受けるライセンス契約を締結
2020年9月	SyB L-1701 トレアキシシ®液剤「RTD製剤」の製造販売に係わる承認を取得
2020年12月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシシ®」について自社による国内販売を開始
2021年 1月	抗悪性腫瘍剤「トレアキシシ®」の液剤である「RTD製剤」発売
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シ®とリツキシマブとの併用療法に対する製造販売承認事項一部変更承認を取得
2021年4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シ®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ併用療法に関する承認取得、並びにトレアキシシ®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ、ポラツズマブベドチン併用療法に関する承認取得
2021年8月	SyB V-1901 第Ⅱ相臨床試験（アデノウイルス感染症）における1例目の投与を米国において開始
2022年2月	SyB L-1702 トレアキシシ®液剤（RI投与）の製造販売承認事項一部変更承認を取得
2022年4月	東京証券取引所グロース市場へ移行
2022年9月	キメリックス社と締結した抗ウイルス薬プリンシドフォビルに関するライセンス契約のすべての権利・義務がエマージェント・バイオソリューションズ社に移転
2023年3月	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）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
2023年4月	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）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
2023年5月	SyB V-1901 造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症を対象とした第Ⅱ相臨床試験において、注射剤プリンシドフォビルがヒトPOCを確立
2024年5月	SyB V-1901による第Ⅱ相臨床試験（ATHENA試験）の造血幹細胞移植後サイトメガロウイルス感染症を対象とした臨床試験を開始
2024年8月	がん領域におけるFIH（First in Human）試験としてSyB V-1901による悪性リンパ腫患者を対象に国際共同第Ib相臨床試験を開始

事業ドメイン

シンバイオ製薬は、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。



「空白の治療領域」に挑む

医療ニーズが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」を埋める新薬を開発・提供し、医療への高い貢献と医薬品業界の健全な発展に寄与します。



医療ニーズから出発する新薬開発

私たちが取り組むのは、大手製薬企業が採算面で参入しにくい、しかし医療ニーズが高くしかも治療が難しい「ニッチな市場」です。なかでも、特に難度の高い「がん、血液、ウイルス感染症を中心とする希少疾患」を核とした新薬開発を推進しています。

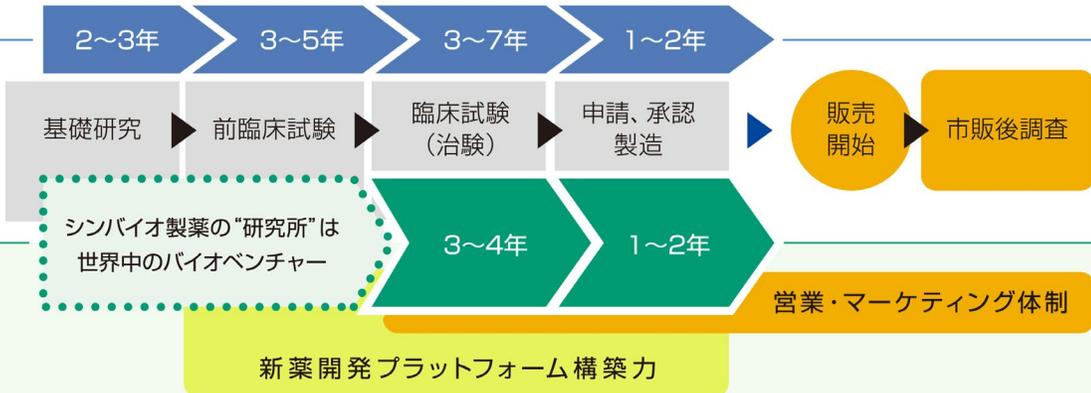
ビジネスモデル

シンバイオ製薬では、医療価値の高い新薬を1日も早く開発し、提供していくために、他の医薬品メーカーとは異なる独自のビジネスモデルを構築しています。

一般的な新薬開発モデル

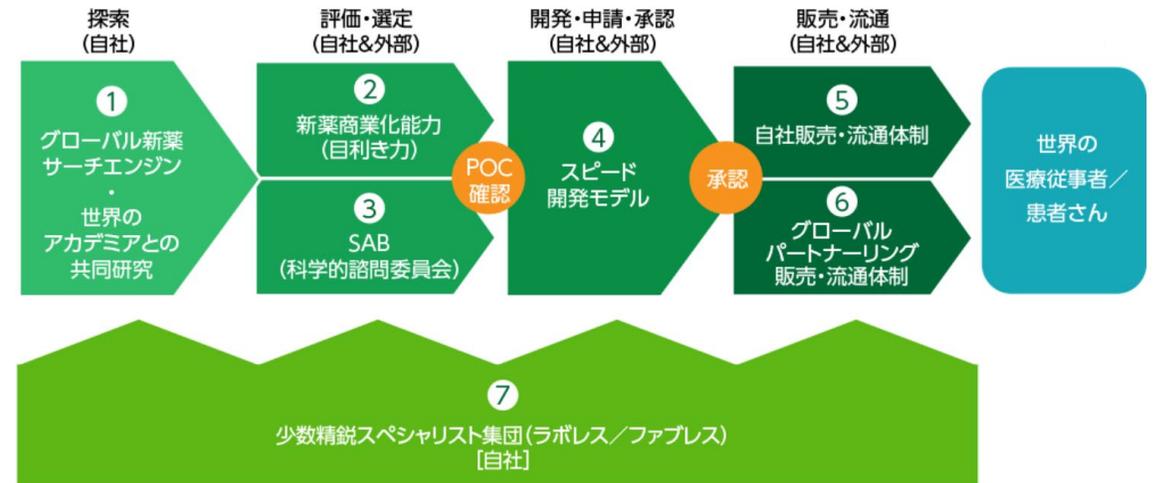
新薬誕生までには一般的に10年以上の長いプロセスを必要とします。それは大きく4つの段階に分けられ、膨大な化合物の検証から、何段階にもわたる安全性のチェックなど、多くの手間と時間、そしてコストを費やします。

新薬承認までに
通常9年～16年



一般的な新薬開発と異なり、基礎研究を一切行わずに世界中から有望な新薬候補物を探索・導入。臨床試験段階からの開発に特化した独自の新薬開発プラットフォームにより、高確率、迅速な創薬を目指しています。また優れた薬を患者さんにお届けするためのニーズ収集や承認・発売後の調査など、営業・マーケティング体制を整え、ビジネスモデルの確実性を高めています。

シンバイオ製薬の新薬開発モデル



製品パイプライン

開発品	適応症	第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相	申請	承認
SyB V-1901 布林シドフォビル 注射剤	造血幹細胞移植後を含む免疫不全患者の アデノウイルス感染症（小児・成人）					第Ⅱ相臨床試験完了
	造血幹細胞移植後 サイトメガロウイルス感染症					第Ⅱ相臨床試験実施中
	NK/T細胞リンパ腫					第Ⅰb臨床試験実施中
	腎移植後 BKウイルス感染症					
	EBウイルス/多発性硬化症、単純ヘルペスウイルス1型/アルツハイマー型認知症、 サイトメガロウイルス/GBMにおいて、非臨床試験実施中					
SyB L-1701 RTD液剤	全適応症 （再発・難治性DLBCL除く）					2020年9月承認済
	再発・難治性DLBCL					2021年4月承認済
SyB L-1702 RI投与	全適応症					2022年2月承認済
SyB L-1101 注射剤	再発・難治性 高リスクMDS（単剤）					国際共同第Ⅲ相試験完了
SyB C-1101 経口剤	再発・難治性 高リスクMDS					国内試験完了
	未治療高リスクMDS（AZA併用）					第Ⅰ/Ⅱ相試験完了

アステラス・ドイツランド GmbH社と締結した抗がん剤ベンダムスチン凍結乾燥剤（FD製剤）のライセンス契約（日本及びアジア諸国）は終了しております。

当社グループは現在開発中のパイプラインとして、SyB L-1101、SyB C-1101、SyB L-1701及びSyB L-1702、SyB V-1901を有しています。
今後も開発候補品を継続的に導入することにより、パイプラインのより一層の拡充及びリスク・リターンバランスのとれたパイプライン・ポートフォリオを構築してまいります。

SyB V-1901 注射剤布林シドフォビル

造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症

第Ⅱ相臨床試験は2024年上半期完了。グローバル第Ⅲ相臨床試験を第4四半期に開始予定で準備中です。

造血幹細胞移植後サイトメガロウイルス感染症

第Ⅱ相臨床試験を開始し、現在2番目の投与コホートの症例集積が終了しています（※前回開示では第Ⅱ相臨床試験の実施準備中と記載しておりました）。

NK/T細胞リンパ腫

第Ⅰb相臨床試験を日本とシンガポール、香港で開始しました

腎移植後BKウイルス感染症

第Ⅱ相臨床試験は2025年の終了を計画しておりましたが、計画に対して症例集積に遅れが生じたことから、治験を中止し、再度研究者の方々とプロトコルの修正の検討を行っています。

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境等

第3部：競争力の源泉

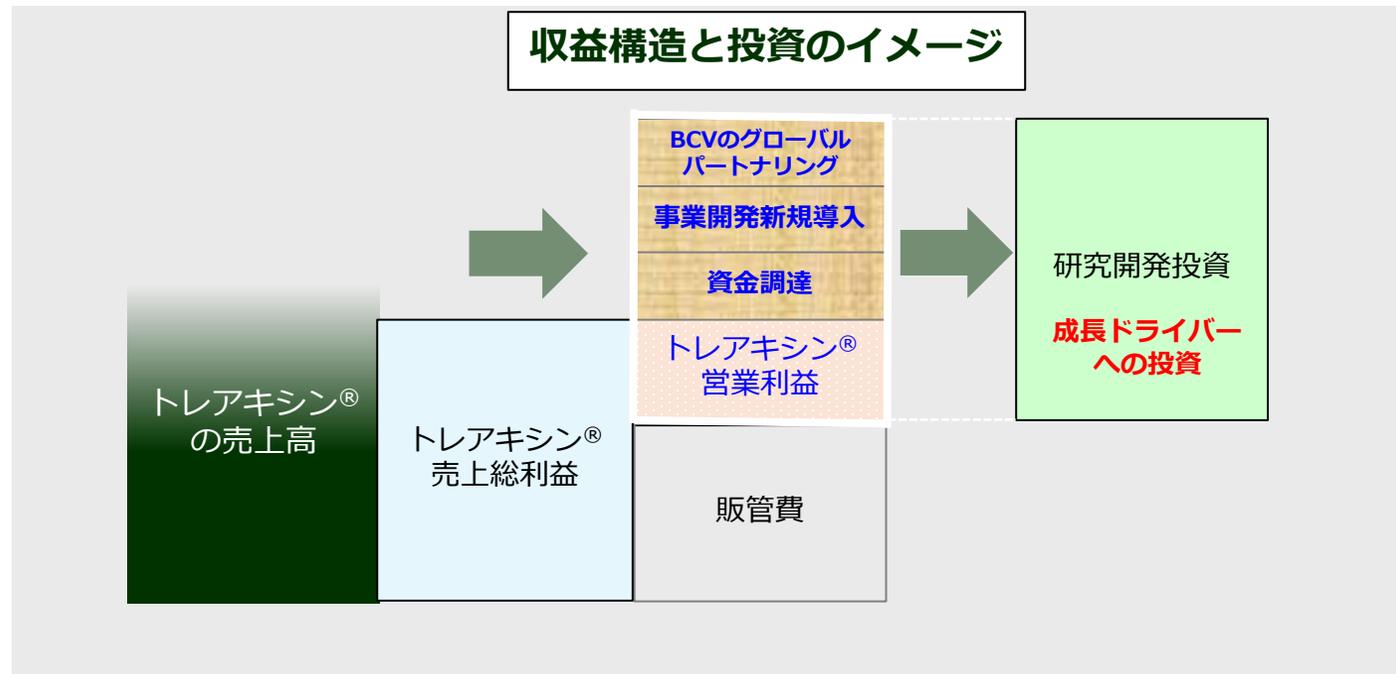
第4部：事業計画

第5部：リスク情報

事業の収益構造

事業収益としてトレアキシ[®]の販売がありますが、後発品の浸透とコロナ禍の処方減に起因した販売減は今後も継続すると想定しています。これを補うため、新規開発候補品のライセンス取得に向けた探索評価の実施を通じての製品導入、グローバル製薬会社とのパートナーリング及びライセンス収入の獲得、並びに資金調達に注力します。

2019年に導入した抗ウイルス薬プリンシドフォビル（BCV）のグローバル開発を推進し、2030年までに2つの適応症で承認を得ることを最優先の目標としており、BCVの承認取得・上市及びパートナーリング収入の獲得による黒字化を実現し、成長性と収益性を兼ね備えたバイオ製薬企業として中長期的な事業価値の創造を目指してまいります。



市場環境等：トレアキシ[®]①（一般名：ベンダムスチン）

「トレアキシ[®]」は4つの効能又は効果の製造販売承認を取得しています。

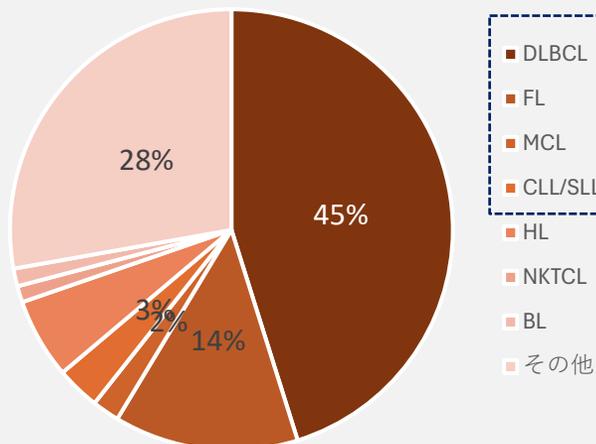
低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及びマンテル細胞リンパ腫

再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫

慢性リンパ性白血病

腫瘍特異的T細胞輸注療法の前処置

悪性リンパ腫の症例別割合



トレアキシ[®]の適応症に
関連する病型

トレアキシ[®]の主な適応症と、承認年月

- 再発・難治性 低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫及びマンテル細胞リンパ腫
2010年10月
- 慢性リンパ性白血病（CLL）
2016年8月
- 未治療 低悪性度B細胞性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
- 再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）
2021年3月

Chihara D, et al. Br J Haematol 164:536-545, 2014を基に当社加工
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3907701/pdf/bjh0164-0536.pdf>

市場環境等：トレアキシン®②

低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫：「トレアキシン®」と抗CD20抗体の併用療法（BR療法およびBG療法）は、日本血液学会が発行する造血器腫瘍診療ガイドラインにて、標準的治療の選択肢として位置づけられています。

再発または難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）：BR療法及び、ポラツズマブベドチン（遺伝子組換え）とトレアキシン®、抗CD20抗体リツキシマブの併用療法（PBR療法）に対して承認され、使用されています。

今後、競合となる薬剤はCAR-T療法や新規作用機序の薬剤となります。

今後について

後発品の浸透と薬価の切り下げに起因した販売減は継続すると見えています。

BR療法：ベンダムスチン-リツキシマブ併用療法
BG療法：ベンダムスチン-オビヌツズマブ併用療法

市場環境等：ブリンシドフォビル

ブリンシドフォビル開発検討領域における年間の推計患者数

*年間患者数：年間の新たな発生数に、起因となるウイルスの比率を乗じて当社推計

		年間患者数*
		全世界
ウイルス 感染症	造血幹細胞移植後 アデノウイルス感染症（AdV）	2,700
	移植後 サイトメガロウイルス感染症（CMV）	31,300
	腎移植後 BKウイルス腎症（BKV）	8,700
血液腫瘍 固形がん	NK/T細胞リンパ腫 PTCL	~ 9,000
	脳腫瘍（GBM）	~ 22,000
脳神経 変性疾患	多発性硬化症（MS）	---
	アルツハイマー型認知症（AD）	---

今後の臨床データにより
算定検討中

造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症第Ⅱa相臨床試験は完了
移植後サイトメガロウイルス感染症で第Ⅱa相臨床試験は進行中
NK/T細胞リンパ腫は第Ⅰb相臨床試験進行中

→p.9「製品パイプライン」参照

Source:

- GlobalData plc.

- International report on Organ Donation and transplantation Activities executive summary 2019, April 2021
及びTransplantation 2012

- Bone Marrow Transplantation 2016, Bone Marrow Transplantation 2019 より当社推計

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

競争力の源泉

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

SAB (サイエンティフィック・アドバイザー・ボード)

世界の研究機関との共同研究

2) 承認済み薬剤の価値最大化・自社販売体制

トレアキシンの価値最大化

3) シンバイオファーマUSAからグローバル展開へ

4) ブリンシドフォビルの用途特許取得による開発プラットフォーム構築

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

当社の新薬サーチエンジンは、製薬企業及びバイオベンチャーとの多様なネットワークによって構築され、膨大な化合物から有望な新薬候補物が抽出されます。これらに対して第一線で研究に携わる経験豊かなサイエンティフィック・アドバイザリー・ボード (SAB) が的確な判断を下し、付加価値の高い新薬候補品を獲得、速やかな承認へ向けた臨床開発を推進します。



1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築 サイエンティフィック・アドバイザリー・ボード (SAB) 及びアドバイザー

SABメンバー

	ジョージ・モースティン (議長)	前アムジェン上級副社長グローバルデベロップメント兼CMO		ロバート・ルイス	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
	堀田 知光	公益財団法人がん研究振興財団 理事長 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	国立大学法人熊本大学国際先端医学研究機構 卓越教授 シンガポール国立大学がん研究所 教授
	竹内 勤	慶應義塾大学名誉教授 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		マティアス・J・ルンメル (シニアアドバイザー)	Justus-Liebig-University (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

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

主なグローバル共同研究の提携先と対象領域・適応症（2025年3月まで）

ウイルス感染症	<ul style="list-style-type: none">● ペンシルベニア州立大学医学部 …ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの効果を検証するための非臨床試験を実施しています。
血液腫瘍 固形がん	<ul style="list-style-type: none">● 米国国立衛生研究所 国立アレルギー・感染症研究所（NIH/NIAID） …EBウイルス関連疾患に関する共同研究開発契約（CRADA）を締結しました。細胞および動物モデルにおいてEBウイルス感染および関連疾患を反映できるトランスレーショナル・プラットフォーム（臨床への橋渡し研究基盤）を用いて、BCVのEBウイルス疾患に対する標的治療としての可能性を評価しています。
	<ul style="list-style-type: none">● シンガポール国立がんセンター …EBウイルス陽性リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍効果とその機序の探索に関して、シンガポール国立がんセンターとの共同研究を開始しました。共同研究成果は2022年～2024年の間に、計5回、国際学会で発表されました。
	<ul style="list-style-type: none">● カリフォルニア大学サンフランシスコ校 …脳腫瘍に対するBCVの抗腫瘍効果を検討する非臨床試験を実施しています。
	<ul style="list-style-type: none">● グスタフ・ルーシーがん研究所 …複数の固形がんに対するBCVの抗腫瘍効果を検討する非臨床試験を実施しています。
脳神経 変性疾患	<ul style="list-style-type: none">● 米国国立衛生研究所 国立神経疾患・脳卒中研究所（NIH/NINDS） …BCVについて、共同研究開発契約（CRADA）を締結しました。本契約は多発性硬化症の治療におけるBCVのEBウイルスに対する効果を検証し、今後の臨床試験の実施に向けて必要とされる情報を得ることを目的としています。
	<ul style="list-style-type: none">● タフツ大学 …BCVについて、受託研究契約を締結しました。共同研究においてタフツ大学が確立した3次元脳モデルを用いて、BCVの単純ヘルペスウイルス1型（HSV-1）感染モデルに対する効果の検証を行っています。

略語注

BCV: brincidofovir (プリンシドフォビル)
ASH: American Society of Hematology

ICML: International Conference on Malignant Lymphoma
NIH: National Institutes of Health
NINDS: National Institute of Neurological Disorders and Stroke

CRADA: Cooperative Research and Development Agreement

2) 承認済み薬剤の価値最大化・自社販売体制

3) シンバイオファーマUSAからグローバル展開へ

- 地域密着型の営業体制とオンデマンドのオンライン面談
- 医師、スタッフのニーズに応える学術セミナー
- サプライチェーンマネジメントの着実な展開

2021年3月に、アデノウイルス感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験を開始するため、FDAに治験許可申請（Investigational New Drug (IND) Application）を行いました。本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指定を受けており、2021年8月には1例目(FPD：First Patient Dosing)の投与を開始し、試験を継続しております。またサイトメガロウイルス感染症に関しても臨床試験開始に向けた準備を進めております。

グローバル開発体制の大幅な拡充を行い、シンバイオファーマUSAを国際臨床試験の推進役として、抗ウイルス薬BCVの開発計画を主導し加速させました。

欧州における子会社であるSymBio Pharma Ireland Limited（本社：アイルランド ダブリン）の設立に伴い、エマージェント・バイオソリューションズ社から、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）指定が移管されました。

4) ブリンシドフォビルの用途特許取得による開発プラットフォーム構築

IV BCVのPOCの用量と投与スケジュールが開発の基盤

IV BCV 0.4mg/kg 週2回の用量を起点

➔ ①臨床開発のリスク軽減 ②開発期間の大幅な短縮が可能

①ステップ1

◆ IV BCVのPOCを確立

移植後ウイルス感染症
AdV, CMV, BKVN, HHV6等

急性疾患

②ステップ2

◆ 抗がん活性の確立と
免疫チェックポイント阻害剤との
相乗効果

血液腫瘍・固形がん領域
悪性リンパ腫、脳腫瘍 等

③ステップ3

◆ ウイルス関連の疾患
の治療薬としての可能性

脳神経変性疾患(MS/AD)
自己免疫疾患

慢性疾患

IV BCVのPOC*が基盤となり
BCV事業のプラットフォーム事業を推進

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

2023年5月に、注射剤BCVのPOCが確立しました。
(2023年5月29日付プレスリリース)
このことを基盤として、二本鎖DNAウイルスに対し幅広く強い
活性を持つBCVの開発をよりリスクを減らし、より早く臨床開
発を進めてゆくためのプラットフォーム化をすすめてまいります。

また、このデータを基に2024年1月にはアデノウイルス感染お
よび感染症に対する注射剤ブリンシドフォビルによる用途特許
を日本において取得した事を発表しました。
(2024年1月19日付プレスリリース)

*POC (Proof of Concept):新薬の研究開発ステージにおい
て、新薬候補品化合物が対象疾患の治療の可否を問う判断
基準を予め設定し、その新薬としての基本的なコンセプトを実証
するために非臨床試験及び臨床試験を行うことにより構想を確
認することをいいます。臨床試験により実証された場合、ヒト
POCの確立といえます。

※ AdV: アデノウイルス
CMV: サイトメガロウイルス
BKVN: BKウイルス腎症
HHV6: ヒトヘルペスウイルス6
MS: 多発性硬化症
AD: アルツハイマー型認知症

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

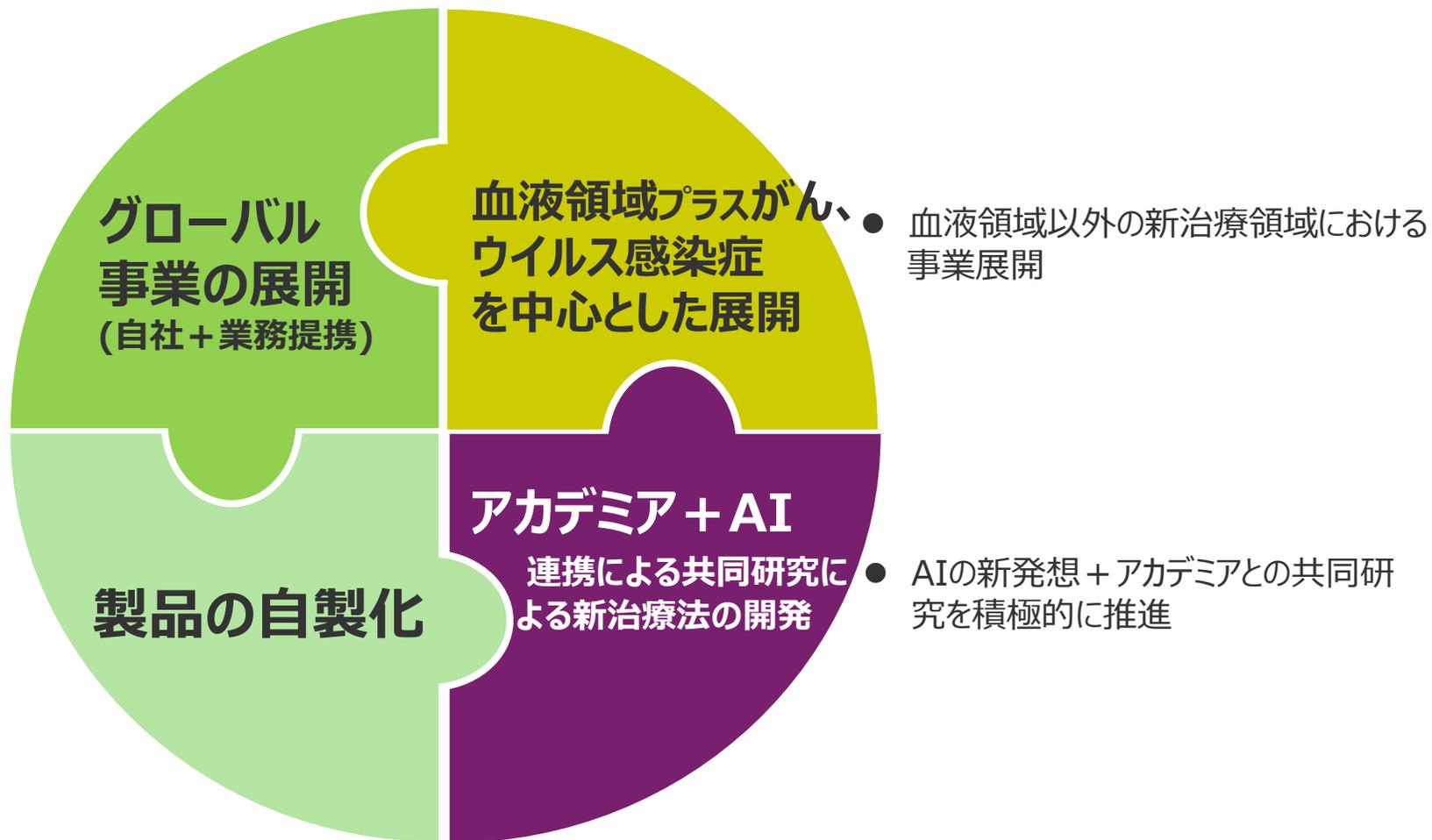
第4部：事業計画

第5部：リスク情報

グローバル・スペシャリティファーマ シンバイオ製薬の戦略

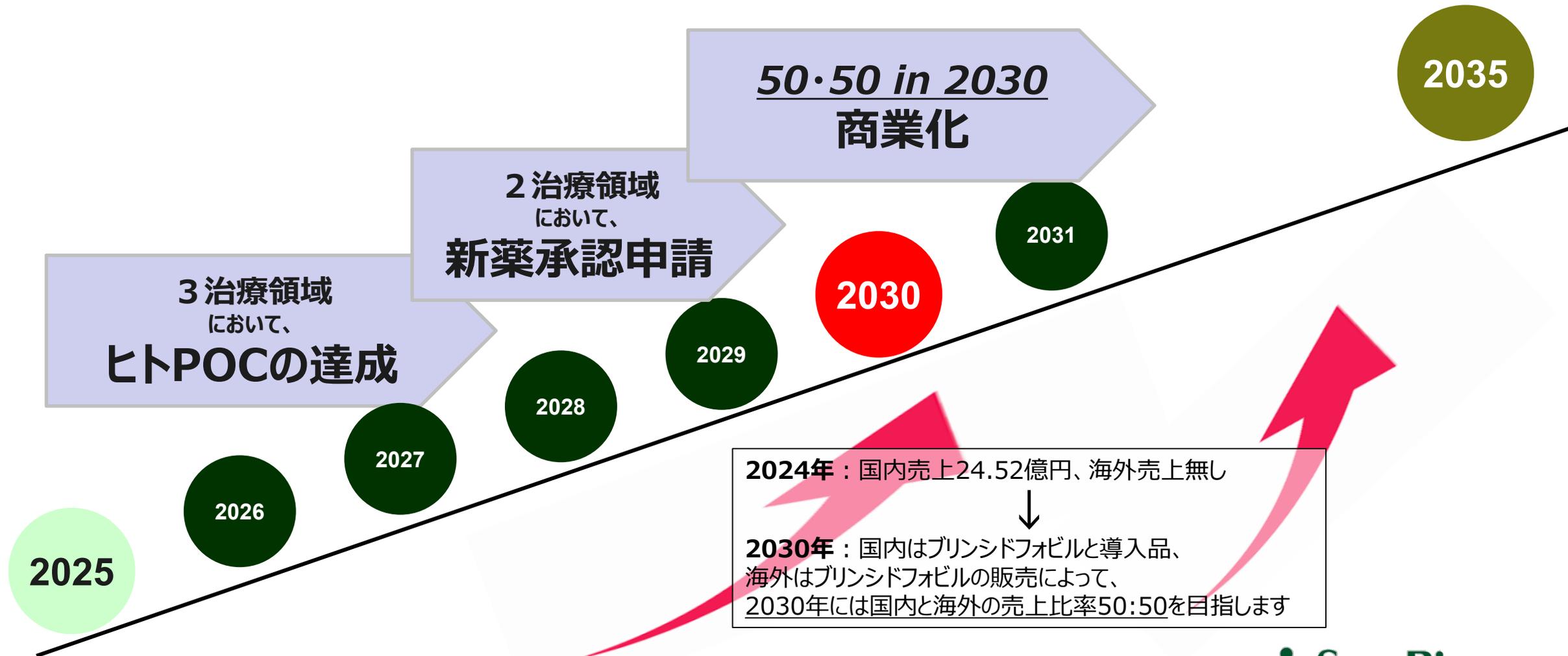
- 日米欧の市場を中心として地域特性に合わせた展開

- 高品質の製品の安定供給の確保



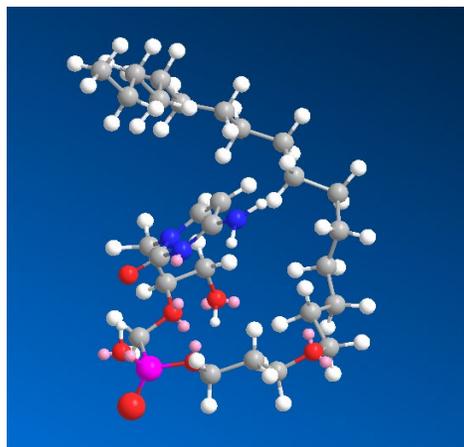
2030に向けた 成長戦略 展開 のイメージ “オプションナリティ” をフルに活かし、事業価値の最大化

➔ 常に、“Follow the science, Follow the data, Follow the patient”



ブリンシドフォビル (brincidofovir:BCV)

高い抗ウイルス活性と広域スペクトラムを合わせ持つゲームチェンジャー



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

2019年9月にキメリックス社との間で抗ウイルス薬BCVに関する独占的グローバルライセンス契約を締結し、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BCV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ました。

本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BCV Oralが高活性の抗ウイルス効果を示し、また広域のスペクトラムを有することが確認されており、各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性は、BCV IV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及び治療に対する有効性と安全性が期待されます。

なお、キメリックス社は、2020年12月、FDAが天然痘の医学的防衛策としてBCV OralのNDAの提出を受理したことを発表しておりましたが、2021年6月にFDAから承認を取得しました。

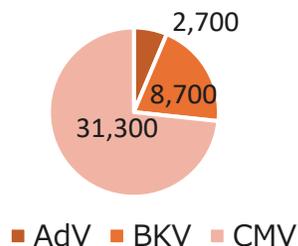
空白の治療領域において、“小さく生んで、大きく育てる” “オプションナリティ”をもつ 事業モデルの強み

AdV: アデノウイルス
 BKV: BKウイルス
 CMV: サイトメガロウイルス
 PTCL: 末梢性T細胞リンパ腫
 GBM: 脳腫瘍
 H&N: 頭頸部がん
 MS: 多発性硬化症
 MCI/AD: 軽度認知障害/アルツハイマー型認知症

各疾患領域の年間患者数（人）

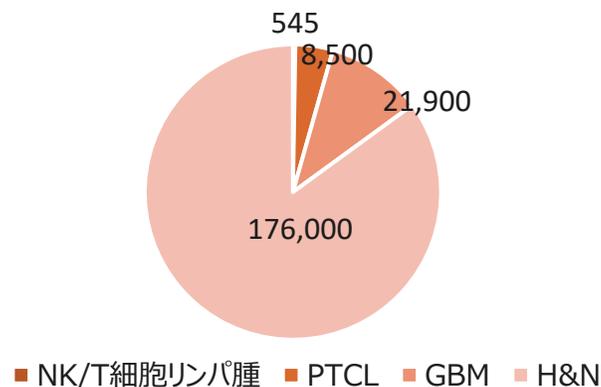
移植後感染症

>約4万人



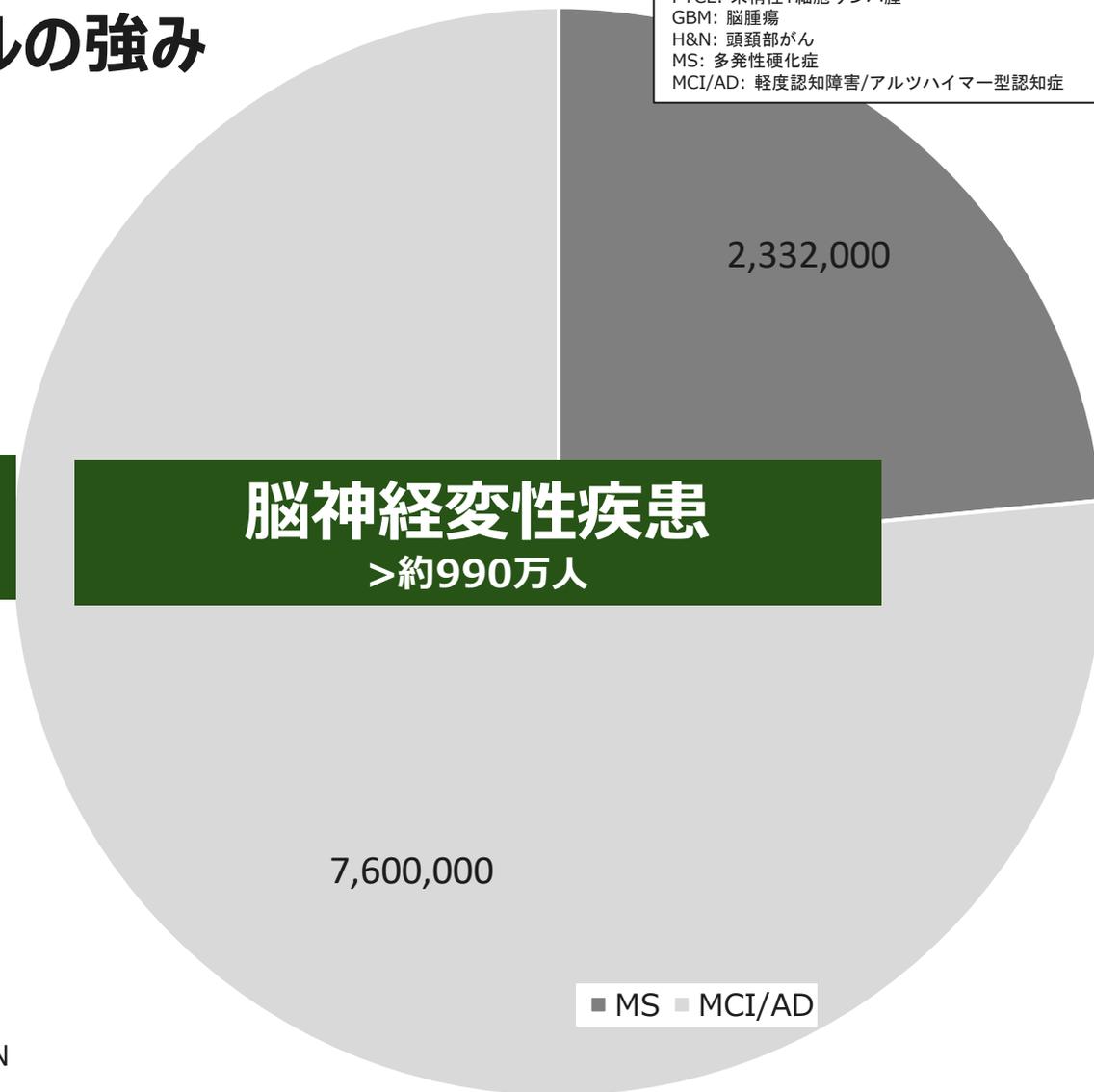
血液がん・固形がん

>約20万人



脳神経変性疾患

>約990万人



2024年度の事業成果 3治療領域において着実な進捗

造血幹細胞移植

CMV感染症の第Ⅱ a相臨床試験進行中 ➡ 2025年中に登録終了予定

AdV感染症 第Ⅱ a相試験完了 ➡ グローバル第Ⅲ相臨床試験を第4四半期に開始予定

血液腫瘍・固形がん

NK/T細胞リンパ腫の第Ⅰ b相臨床試験開始：症例集積開始、年内登録終了予定

BCVとICIとの併用効果を確認 66回ASHで研究成果発表（24年12月）

脳腫瘍 バイオマーカーの遺伝子X及びYの発見 ➡ 第Ⅰ b試験の開始準備

脳神経変性疾患

多発性硬化症：米国国立衛生研究所との共同研究（動物試験を開始）

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：利益率は薬価切下げ等により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 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

調達資金の充当状況

(単位：百万円) ※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

● 第三者割当による新株式及び第58回新株予約権の発行及び行使による資金調達

調達手段	調達予定金額	公表済み資金使途	調達実施額	実績支出金額
第三者割当による新株式	622	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	622	622
第58回新株予約権の発行及び行使	1,173	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	13	13
	395	長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入や M&A 等の投資資金	-	-
合計	2,190		635	635

● 第三者割当による無担保転換社債型新株予約権付社債の発行による資金調達

	調達金額	公表済み資金使途	調達実施額	実績支出金額
第4回割当（払込期日：2025年1月10日）	600	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	600	600
第5回割当（払込期日：2025年2月5日）	600	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	600	0
第6回割当（中止）	中止	中止	中止	中止
第7回割当（払込期日：2025年4月11日）	600	抗ウイルス薬プリンシドフォビルの開発資金	0	0
合計	1,800		1,800	600

当社は、2025年2月14日、割当予定先から、足元の市況等を総合的に勘案して期日での予定の引き受けが難しいこと、また、第6回新株予約権付社債第三者割当を実施した場合に残存する第7回新株予約権付社債にかかわる上限交付株数が限定的であることを踏まえて手続きの効率化についても考慮し、第6回新株予約権付社債の発行日程を第7回新株予約権付社債の発行日程と同一にしたい旨の要請を受けました。当社としては、第6回新株予約権付社債にかかわる日程変更の可否について検証したものの、払込期日の変更は本プログラムの重要な変更に該当するため、2025年2月20日開催の取締役会において、本第三者割当のうち、第6回新株予約権付社債第三者割当に関して、その発行を中止することを決議いたしました。[\(プレスリリース\)](#)

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/\$

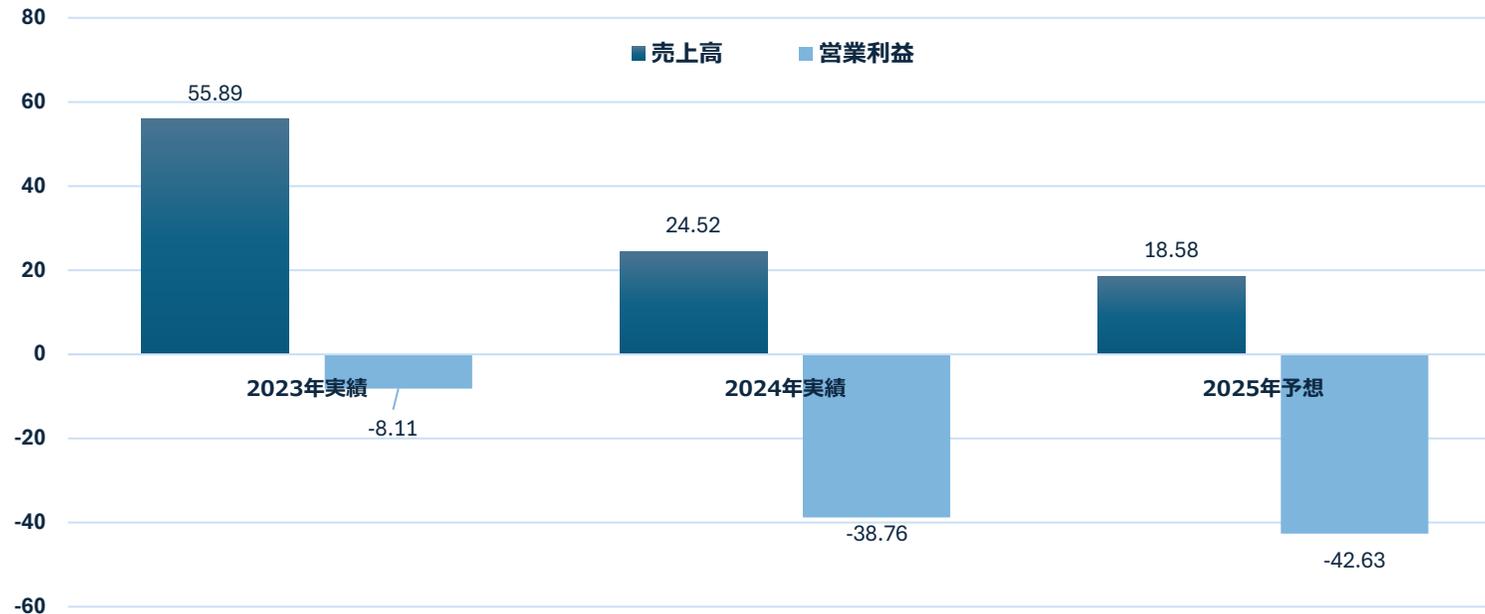


経営目標と利益計画

第二の創業の経営目標 “グローバル・スペシャリティファーマの実現”

- 2024年12月期 プリンシドフォビル開発の着実な推進、パイプラインの拡充と進化及び事業グローバル化への対応

(単位：億円)



現在のプリンシドフォビル開発計画その他に基づく
2025年の計画は左記の通りです。

→業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠
は次ページ (p.33) 参照

業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

2025年12月期の見通しについて、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ことにより、売上高は、前事業年度から594百万円(24.3%)減収の1,858百万円となる見込みです。売上総利益は、売上高の減少と薬価引き下げによる利益率の下落等の影響を受けて、前事業年度から516百万円(27.3%)減少し、1,357百万円となる見込みです。研究開発費につきましては、2024年度の研究開発費は3,379百万円と前々年2023年度比741百万円(28.1%)と大きく増加しましたが、その傾向は引き続き、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、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、前事業年度から281百万円(8.3%)増加の3,661百万円となる見込みです。それに対して、その他の販売費及び一般管理費を削減し、販売費及び一般管理費合計では5,620百万円と前年同期比130百万円(2.2%)の減少を見込んでいます。以上の結果、2025年12月期は、売上高1,858百万円、営業損失4,263百万円、経常損失4,347百万円、親会社株主に帰属する当期純損失4,468百万円を見込んでいます。

進捗状況：ブリンシドフォビル(BCV)：現在の開発状況

- **実施中・準備中の臨床試験：**

1. 造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症 第Ⅱ a相臨床試験においてPOCが確立し試験完了しました。現在、第Ⅲ相臨床試験を2025年第4四半期に開始するための準備をおこなっています。
2. 造血幹細胞移植後サイトメガロウイルス感染症 第Ⅱ a相臨床試験を実施しており、現在2番目のコホートの患者組み入れは、完了しました。
3. 再発又は難治性のリンパ腫 日本・シンガポール・香港において、第Ⅰ b相臨床試験を実施中です。
4. 腎移植後BKウイルス感染症 第Ⅱ相臨床試験において、現在プロトコールの再検討中です。

- **探索的研究/非臨床試験：**

1. 脳腫瘍：動物モデルにおいてBCVの抗腫瘍・抗ウイルス活性を確認するための非臨床試験が、米国カリフォルニア大学サンフランシスコ校で実施され、2025年の臨床試験開始を検討しています。
2. 固形がん：フランス グスタフ・ルーシー研究所において、複数の固形がんについて非臨床試験を実施
3. 多発性硬化症：2023年3月に、NIH傘下の米国国立神経疾患・脳卒中研究所（NINDS）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。本契約は多発性硬化症の治療におけるBCVのEBウイルスに対する効果を検証し、臨床試験の実施に向け必要とされる情報を得る事を目的としている。2023年10月には欧州多発性硬化症学会（ECTRIMS）で研究成果が発表された。現在非ヒト霊長類を用いた試験を実施中。
4. EBウイルス疾患：2023年4月に、NIH傘下の米国国立アレルギー・感染症研究所（NIAID）と共同研究開発契約（CRADA）を締結。
5. アルツハイマー型認知症：米国タフツ大学との共同研究において、同大学により確立された3次元脳モデルを用いて、単純ヘルペスウイルス1型（HSV-1）感染モデルに対する効果を検証する非臨床試験を実施中。

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

2025年度の事業展開

移植後 AdV感染症 P3試験 開始 (Q4)

移植後 CMV感染症 P2試験 POC確立 (Q3)

NK/T細胞リンパ腫 P1b試験による POC確立 (Q4)

脳腫瘍 (GBM) P1b試験 開始 (Q4)

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)

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)

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

リスクの概要①

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	発生可能性	発生時期	影響度	当社の対応策
研究開発および収益確保の不確実性について	新薬候補品の開発、規制当局からの承認、製造及び販売の各段階において成功を収め採算性を確保する必要があります。	開発が遅延し、または中止となる場合、当社の財政状態および経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	大	当社ではパイプラインを複数保有するとともに、絶えず新規の候補薬の探索に努めています。科学的専門家会議の検討を経て、POC*が確認された開発候補品を優先導入するほか、開発リスクの軽減のため、既存パイプラインの薬剤につき、研究機関との共同研究により併用療法の可能性や新治療領域開発にも取り組んでおります。
特定の取引先に依存するリスク	取扱製品・開発中の薬剤は、それぞれ海外の企業からライセンスを受けております。また製品製造はライセンス先に委託中です。従ってライセンス元の企業に開発・販売等について依存するリスクがあります。	ライセンス元の企業に開発・販売等について当該ライセンス先の状況変化等が生じた場合事業に影響があります。	中	中長期	中	ライセンス元とは円滑な情報交換に努めており、製品の調達にあたっては、必要量および品質の確保および改善につき適切に対応しております。
特定の製品に依存するリスクについて	現在、製品化しているものは、トレアキシン®一種類しかない点。	トレアキシン®についての競合品等の出現によって市場での競争力が低下する可能性があります。	中	短期	中	ベンダムスチン製剤の市場シェアの成長自体がコロナの影響もあり鈍化しております。(注：次ページ「後発医薬品の承認について」参照)
サプライチェーンにおけるリスク	販売中の製品の製造・輸入・日本における検査・出荷及び流通業者への委託販売のサプライチェーンにおいて問題が生じた際のバックアップ体制。	サプライチェーンに問題が生じた場合、製品供給が途絶える可能性があります。	中	中期	中	製品の製造においてバックアップを確保し、また、流通経路においても、相互代替可能になるように、卸業者を2社を活用し、製品倉庫を東西に設置しております。

*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

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

リスクの概要②

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	発生可能性	発生時期	影響度	当社の対応策
海外治験の遂行について	抗ウイルス薬プリンシドフォビル（brincidofovir：BCV）につきましては、米国および英国での治験に着手。治験の遅延等が生じた場合、経営への影響が大きい。	海外での治験は初の試みであり遅延等が生じるリスクがあります。	中	中長期	大	移植後のAdV*およびCMV*感染症への適応とする治験を実施中です。AdV*についてはPh2試験でPOCが確立し、現在、グローバルPh3試験の準備中であり、CMV*についてはPh2試験が進行中です。また、血液腫瘍領域に対象を拡大して日本を中心にアジアでリンパ腫を適応の治験を開始しました。ほかにも動物試験の結果を踏まえ順次治験の検討に入っています。
後発医薬品の承認について	2022年2月にトリアキシン®の後発医薬品が承認され、薬価収載が認められたため、今後の販売数量等に影響が出る可能性。	後発医薬品が発売されたため、当社の売上・利益が減少傾向となっております。	中	短期	中	特許等に基づく当社グループ製品・パイプライン品の保護及びさらなる差別化を行うべくことにより競争力の維持に努めております。なお、ライセンス元であるEagle社と協議し、後発医薬品の製造販売を開始した東和薬品およびファイザーの2社に対して特許権の侵害に基づく差止請求及び損害賠償請求の訴訟を提起しましたが、和解等で終了しました。
資金調達について	開発投資に必要な資金確保が行えなかった場合、開発中止など事業計画に与える影響が大きい。	必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に懸念が生じる可能性があります。	中	中長期	中	プリンシドフォビルを中核としたグローバル事業展開において、この薬剤の潜在力を活用し、空白の治療領域に対応するため、現在移植領域のウイルス感染症および血液腫瘍に対する複数の臨床試験を実施しており、内部資金を充当することに加え、グローバル製薬会社との業務提携を進めながら、他方で、投資ファンドへの第三者割当のプログラムを設定し、資金調達を実施中です。

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

*AdV: アデノウイルス

*CMV: サイトメガロウイルス

リスクの概要③

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	発生可能性	発生時期	影響度	当社の対応策
継続企業の前提	継続的な営業キャッシュ・フローのマイナス、営業損失、経常損失又は当期純損失の計上などの継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような事象が存在すること。	事業の継続が困難になる可能性があります。	小	中期	大	新たな資金調達や、必要に応じたライセンス契約締結による導出一時金の獲得のため、積極的にパートナーリングの交渉を継続しており、実施可能な複数のコスト削減策も計画しております。2024年度末から1年を超える期間についての資金繰りに重要な懸念はないと判断し、継続企業の前提に関する重要な不確実性はないと認識しております。

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

本資料の取り扱いについて

当該資料は当社の事業内容を説明するために作成されたものであり、勧誘を目的に作成されたものではありません。

当該資料に記載された内容については合理的な注意を払うよう努めておりますが、当該資料の作成時において入手し得た情報に基づき、当社の判断において記載したものです。市場環境等当社外の事項に関する情報については、その正確性、完全性について保証するものではなく、また、業績の見通し等の将来に関する記述については、リスクや不確実な要素が含まれているため、実際の業績は大きく異なるものとなる可能性があります。これについて確約や保証を与えるものではありません。

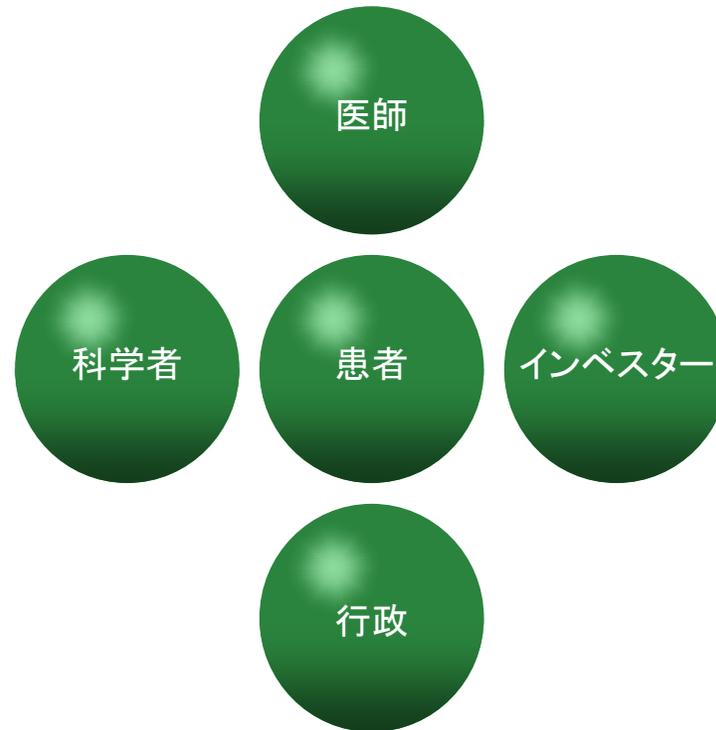
投資等を行われる際には、投資家ご自身の責任と判断で行っていただくことを前提に当該資料をご提示させていただいております。

なお当該資料に記載されている開発品の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではありません。

当資料は、本決算発表の時期（次回2026年2月）または株主総会の時期（次回2026年3月）を目途に更新し、開示する予定です。

また、事業進捗に関する内容に変更がある場合には、四半期決算短信等において当該変更事項を開示する予定です。

“共創・共生”の志



＜お問い合わせ先＞
シンバイオ製薬株式会社 IR 室 03-5472-1125

わかちあう、創薬の喜び