



Veritas In Silico

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs

成長戦略 ご説明資料

株式会社Veritas In Silico

証券コード: 130A

2024年12月16日



今後の成長戦略

mRNA標的低分子創薬事業(プラットフォーム型ビジネス)を引き続き展開

創薬プラットフォームibVIS®を活用したプラットフォーム事業を拡大するため、新規契約を毎年2件※獲得する
現在進行中の製薬会社4社および新規顧客との共同創薬研究を進捗させる

※2025年度には、2024年度に契約締結予定であった2件に加えて、さらに新規の契約2件、合計4件の契約獲得を目標とする

ハイブリッド型ビジネスへの転換に向けて自社パイプラインを創出

プラットフォーム事業のなかで磨かれた当社創薬技術を用い、主として核酸医薬品の自社パイプラインを年間1本創出
事業性の観点から、当社の株主価値の向上に寄与するパイプラインに注力する

ハイブリッド型ビジネスを経てスペシャリティファーマ(中堅製薬会社)へ

収益源となるプラットフォーム型ビジネスと、投資となるパイプライン創出をバランスよく行う
継続的に当社の株主価値を向上させて、本中期経営計画後にスペシャリティファーマとしての地歩を確立する

Contents

- 1 会社概要
- 2 ビジネスモデル
- 3 外部環境
- 4 事業進捗
- 5 創薬プラットフォーム
- 6 成長戦略
- 7 財務ハイライト
- 8 事業等のリスク



1 会社概要

Corporate Overview



理念

mRNA標的低分子創薬で 希望に満ちたあたたかい社会の実現を

創薬のフロンティアを
切り拓くパスファインダー
(Pathfinder)として

どんな疾患の患者様も
最適な治療が
受けられるように

mRNA標的低分子医薬品および核酸医薬品の創出に取り組むバイオテック企業

会社名	株式会社Veritas In Silico (VIS)
設立	2016年11月17日
本社	東京都品川区西五反田一丁目11番1号
事業所	基礎研究部門:神奈川県川崎市 応用研究部門:新潟県新潟市
代表者	代表取締役社長 中村 慎吾
従業員数	18名 (2024年11月末現在)
資本金	77,175千円 (2024年11月末現在)
事業内容	独自の創薬プラットフォーム ibVIS® により、 製薬会社と共同創薬研究を通じて、 mRNA標的の低分子医薬品の創出に取り組む 2025年より、核酸医薬品を中心に自社パイプライン 創出にも取り組む



新川崎研究所
(かわさき新産業創造センター内)



新潟研究所
(新潟薬科大学内)

設立以降、実績を積み上げて着実にmRNA標的的低分子事業を拡大

事業会社からの支援のもと、特徴ある研究・創薬パートナーと共にmRNA標的的低分子創薬を推進



研究・創薬
パートナー



(注) 現在、東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品の4社と共同創薬研究を実施中

mRNA標的低分子創薬を実現させた当社創立者のバックグラウンド

当社設立後、中村はバックグラウンドを最大限活用してmRNA標的low分子創薬事業を本格化

三度にわたる資金調達ラウンドを成功させ、2024年2月にはIPOを達成



代表取締役社長
中村 慎吾 PhD

創薬研究から事業開発、営業、
企業経営、バイオテック企業への投資に
至るまで幅広い実務経験を有する



実務経験豊富なマネジメントチーム

製薬・バイオ業界において豊富な実務経験を有する経営陣及びその経営を監査する幅広い経験を持つ監査役



取締役・管理部長
萩原 宏昭

管理部門として30年以上の実務経験を持ち、当社を含め2度IPOを成功させた経験を有する



取締役・事業開発部長
甲田 伊佐男 PhD

医薬品の創薬研究、臨床開発から事業開発に従事し、医薬品業界で40年以上(そのうち米国で約15年)の実務経験を有する



社外取締役・独立役員
小南 欽一郎 PhD

テック&フィンストラテジー株式会社
代表取締役

アカデミアで助手を勤めた後、野村証券等でバイオアナリストとして活動し、バイオテック業界に幅広い人脈を有する



常勤監査役
鈴木 貞雄

生命保険会社による資産運用実務経験及び常勤監査役としての豊富な実務経験を有する



社外監査役
廣岡 穰

廣岡公認会計士事務所 所長
公認会計士・税理士

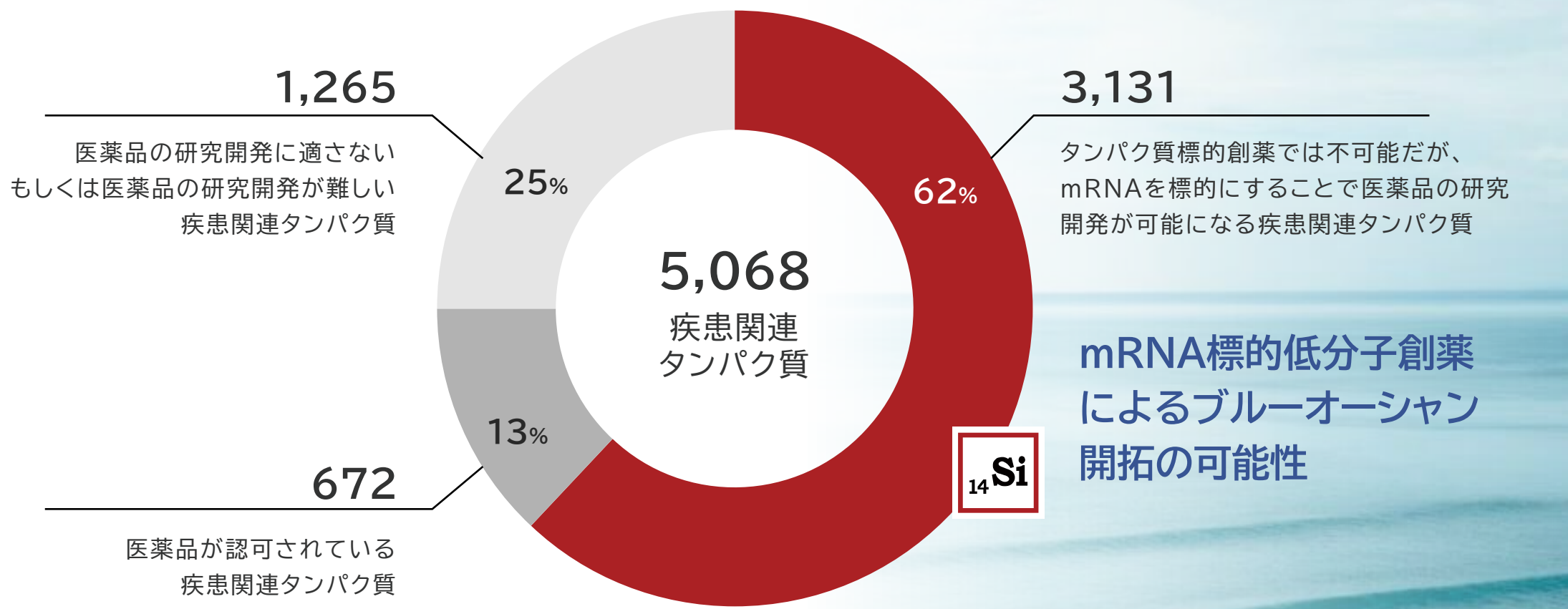


社外監査役
若林 美奈子

オリック東京法律事務所・
外国法共同事業 パートナー
弁護士(日本・米国NY州)

治療“できない”を“できる”にするmRNA標的 low 分子創薬

従来のタンパク質を創薬標的とした創薬技術では“Undruggable (創薬不可能)”な疾患も mRNA を創薬標的とすることで “Druggable (創薬可能)” に新しい創薬アプローチである mRNA 標的 low 分子創薬により、疾患関連タンパク質において大きな割合を占めるブルーオーシャンを開拓できる可能性がある



出典: The Human Protein Atlas, DrugBank, KS analysis, 2018 をもとに当社にて作成

mRNAを標的とした低分子医薬品でブルーオーシャンを開拓

当社は、タンパク質の設計図であるmRNAを創薬標的として、経口投与が可能で医療経済的に望まれている低分子医薬品の創出を目指す
新しいブルーオーシャン戦略によって低分子創薬の課題が解決されるため、将来的な市場の成長が期待される



(注) mRNA標的低分子医薬品の研究開発は世界的に見てもほとんどが研究段階であり、本創薬で上市された低分子医薬品はありません(2024年9月末現在)

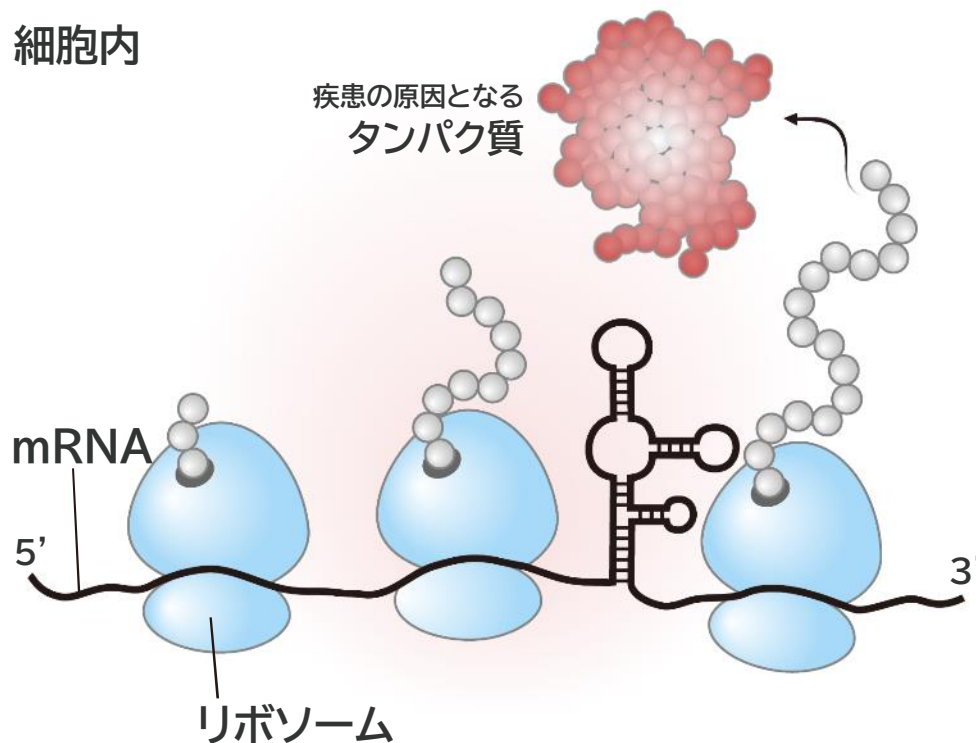
さまざまな疾患の治療に適用できる汎用性のある作用メカニズム

細胞内では、タンパク質の設計図であるmRNAの情報をリボソームが左から右(下図)に読み取ることでタンパク質が合成される

低分子医薬品によりmRNA上の構造が安定化されると、リボソームはmRNAの情報を読み進めることができなくなりタンパク質の合成はストップする

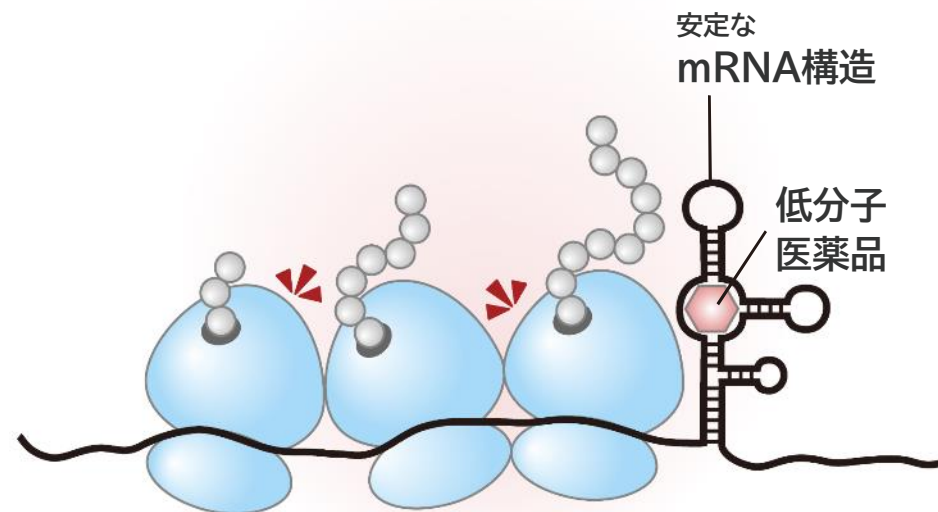
低分子医薬品なし

細胞内



低分子医薬品あり

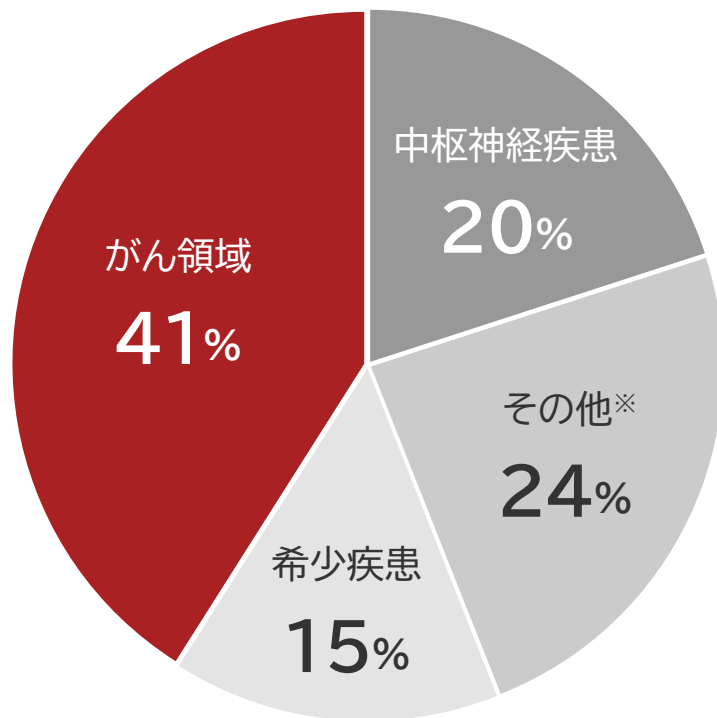
細胞内



創薬プラットフォームibVIS®で未だ満たされない医療ニーズに応える

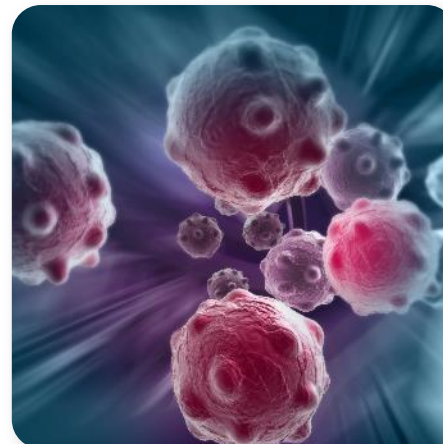
当社の創薬プラットフォームibVIS®を紹介した製薬会社から開示された創薬対象遺伝子は100以上で、疾患領域は多種多様である
創薬の専門家から見ても、ibVIS®は様々な疾患に適用可能であることを示唆している。特にがん領域は突出しており、中枢神経疾患がそれに続く

創薬対象遺伝子からわかる疾患領域(注)



※ 循環器疾患、免疫疾患、感染症などを含む

(注) 2024年9月末現在において製薬会社から開示された創薬対象遺伝子に基づき当社にて作成



がん領域

がんはメカニズムが多様であり、従来創薬では治療できないがんが多く存在する。患者数が多いため、大量供給可能な低分子新薬の開発が望まれる



中枢神経疾患

脳(中枢神経)の血液脳関門(BBB)は神経細胞に影響のある物質をブロックする保護システム。中枢神経疾患の治療にはBBBを通過する低分子医薬品が有効

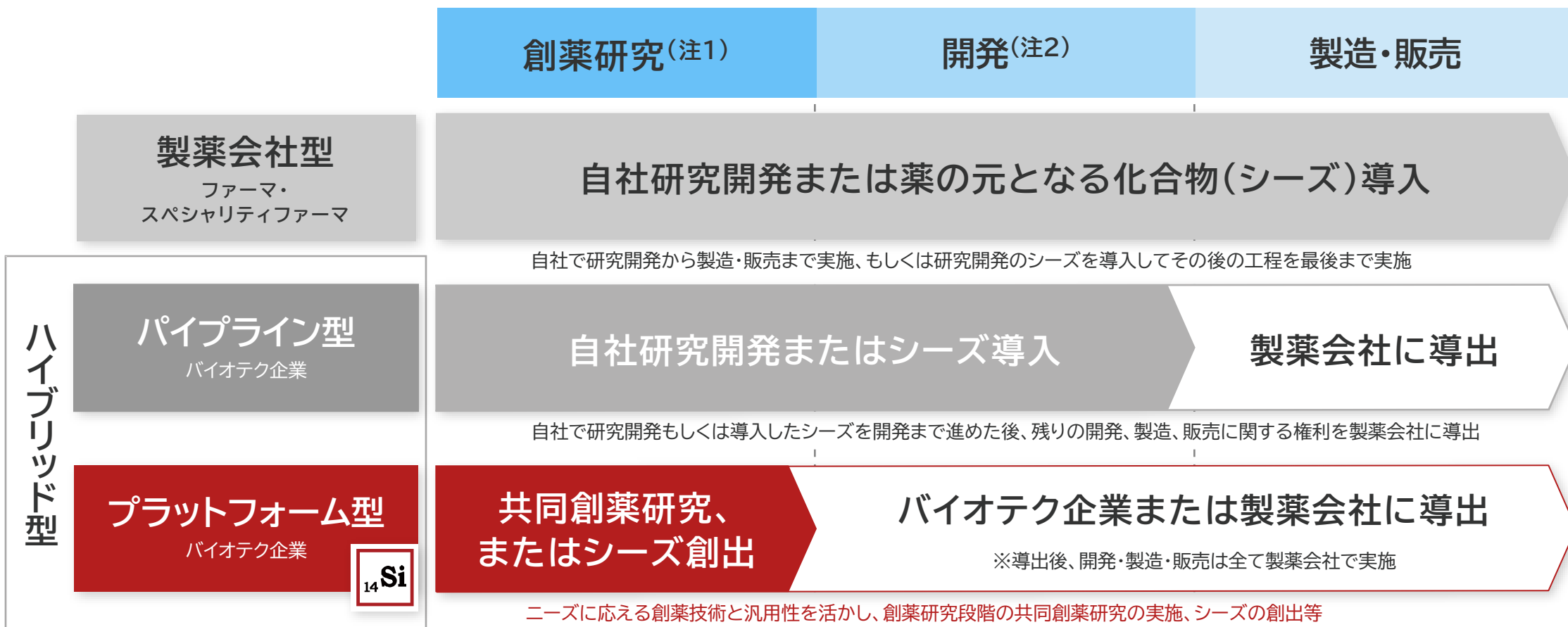


2 ビジネスモデル

Business Model

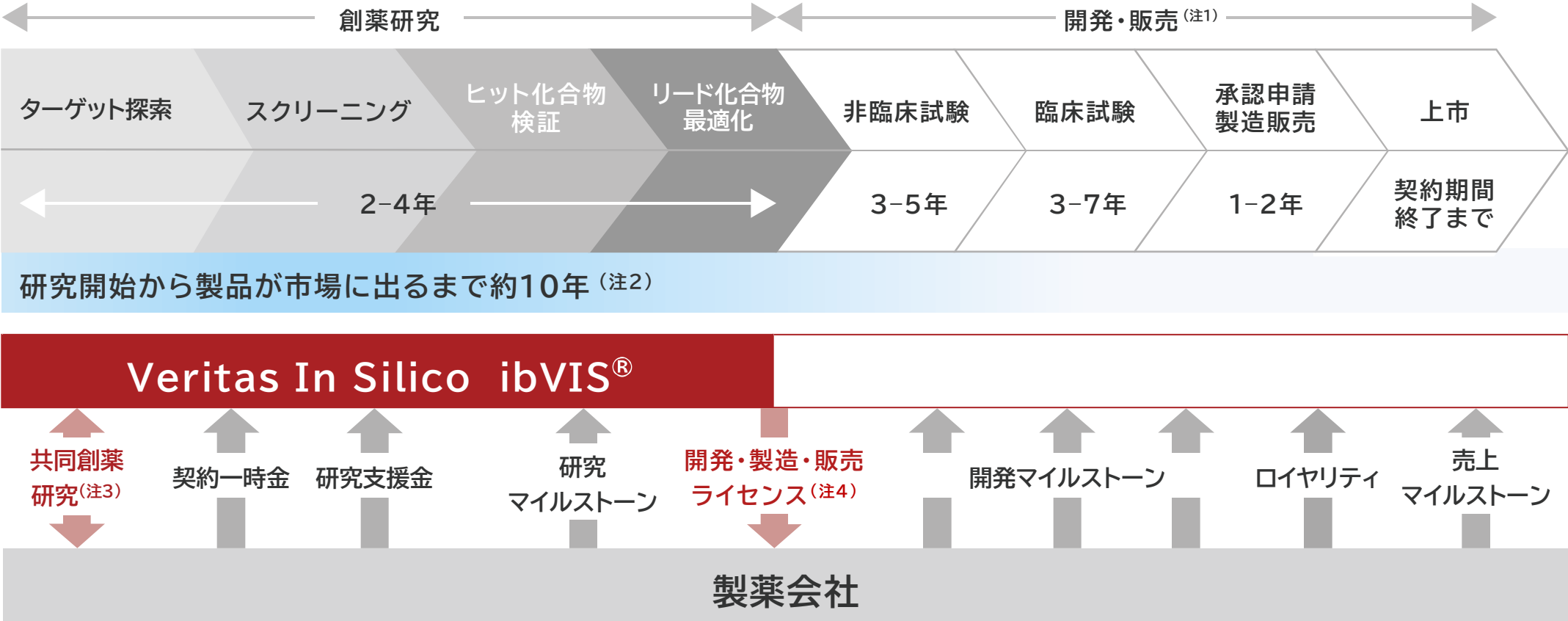
技術力を活かしたプラットフォーム型ビジネスに注力

当社は幅広いニーズに応えるmRNA標的low分子創薬の技術力を武器として、プラットフォーム型ビジネス(独自の基盤技術を、共同創薬研究等を通じて複数の製薬会社へ提供)に注力している。製薬会社との共同創薬研究を通じて、mRNA標的low分子創薬の潜在的な市場のシェアをいち早く獲得する



創薬研究の初期から長期にわたり安定した事業収益を実現

当社と製薬会社との共同創薬研究契約では、当社の創薬プラットフォームibVIS®の使用に対して創薬研究の初期から事業収益が得られる開発・製造・販売権のライセンス以降も、創薬研究における当社の貢献に応じて収益が得られるプラットフォーム型の契約を締結している



契約一時金	契約締結時に一時金として受け取る事業収益
研究支援金	研究実施等に対する対価として創薬標のごとに受け取る事業収益
マイルストーン	研究・開発・売上の進捗に応じて、事前に設定したイベントを達成した際に受け取る事業収益
ロイヤリティ	医薬品販売開始後に年間の売上高に応じて受け取る事業収益

(注1) 現時点(2024年9月末現在)、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績はありません
(注2) 上市までの期間については、実際の研究開発状況により大きく異なる可能性があります
(注3) ibVIS®を使用した当社と製薬会社の協業は、創薬研究期間中に限られます
(注4) 開発・製造・販売ライセンスに関する取り決めについては、共同創薬研究契約に盛り込まれる場合があります

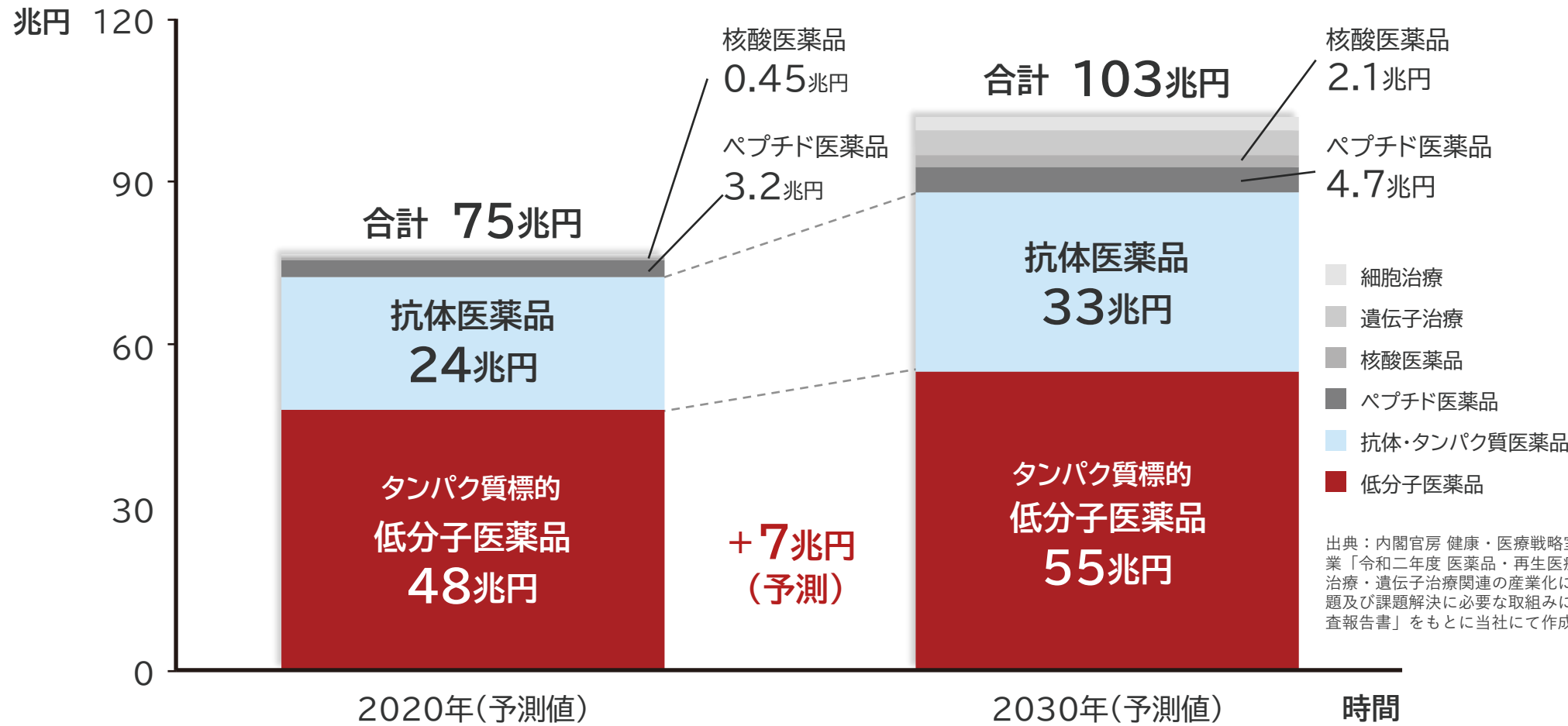


3 外部環境

External Environment

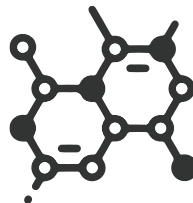
医薬品市場の中心は低分子医薬品

低分子医薬品の市場は成熟期を迎えているが、今後も一定の成長が見込まれ、2030年においても医薬品市場全体の半分以上を占めると予測されている



低分子医薬品は経口投与が可能で低コスト製造法が確立された商材

医薬品業界は製造業。科学的に優れた創薬技術であっても、医薬品の大量製造やコストに問題があれば商材とならず市場は形成されない
経口投与が可能で患者様の負担も小さい低分子医薬品は、製法が確立されており製造コストも極めて低い

医薬品の種類		中分子医薬品・バイオ医薬品			
		低分子医薬品	ペプチド医薬品	核酸医薬品	抗体医薬品
形状(イメージ)					
分子量		100～500	500～1万	～1万	約10万～
製造	製法	化学合成	化学合成／培養	化学合成／培養	培養
	コスト	低い	非常に高い	非常に高い	高い
創薬標的	タンパク質	○	○		○
	mRNA	※		○	
投与経路	経口	○			
	その他	○	○	○	○

※ 現時点、本創薬で上市された医薬品はないが、当社技術を含むmRNAを標的とする低分子創薬技術の出現で本創薬は実施可能「○」になり、低分子医薬品市場の再成長の起爆剤となる

RNA標的低分子創薬の注目の高まり

科学系学術団体としては世界最大であるアメリカ化学会の2017年11月号学会誌(右上)でRNA標的低分子創薬のバイオテック企業の勃興が特集されてから6年、同学会誌の2023年10月号で低分子創薬の再来が特集され(右下)、その中でRNA(核酸)標的が創薬の主流になりつつありとの見解が述べられている



DRUG DISCOVERY

The RNA drug hunters

Academics, biotech start-ups, and big pharma companies are designing small molecules that target RNA

by [Ryan Cross](#)

November 27, 2017 | A version of this story appeared in [Volume 95, Issue 47](#)

c&en
GLOBAL ENTERPRISE

DRUG DISCOVERY

Is this a golden age of small-molecule drug discovery?

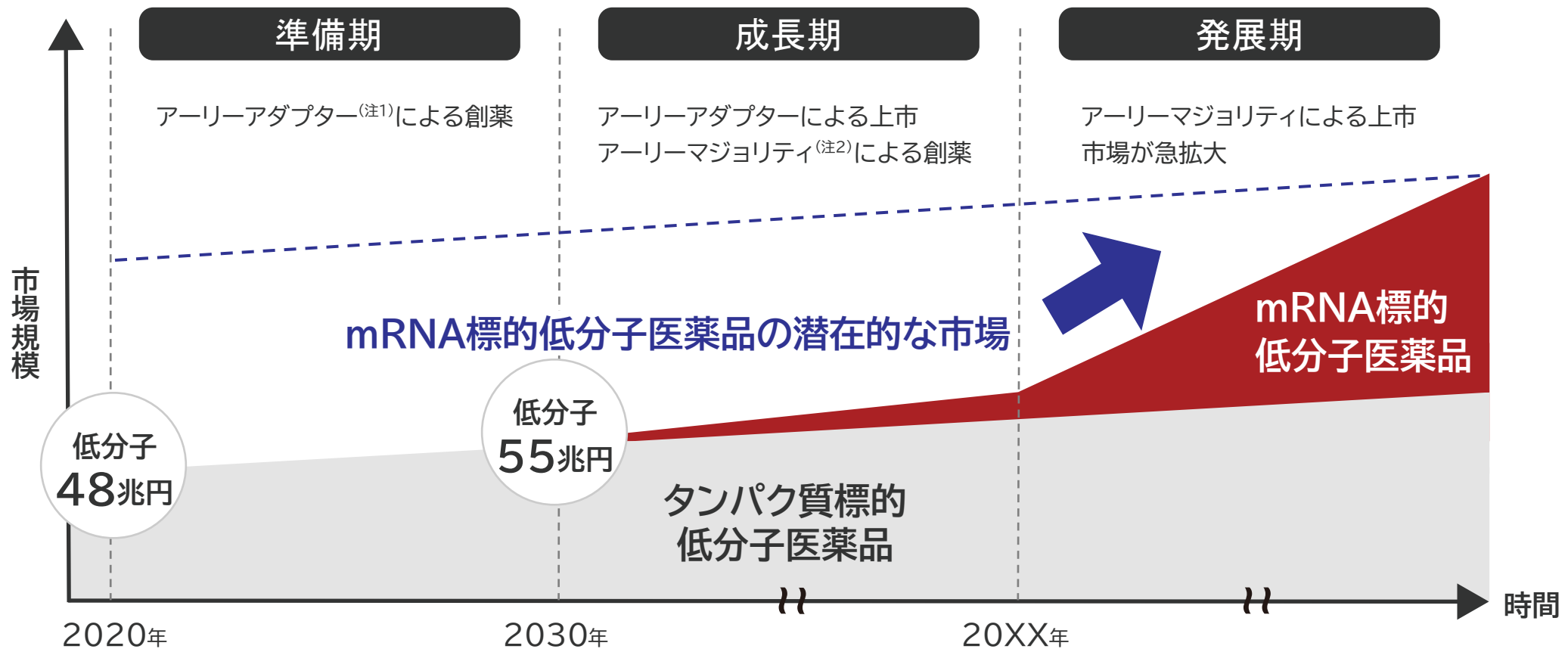
With innovative tools and techniques, it's an exciting time for medicinal chemists building new drugs

[Laura Howes](#)

C&EN, **2023**, 101 (36), pp 28–32 | October 30, 2023

タンパク質標的に匹敵するmRNA標的低分子医薬品の潜在市場

mRNA標的低分子創薬は現在**準備期**。当該創薬により低分子医薬品が市場に出れば、“Undruggable”だった疾患に対して研究開発が一気に広まるため**(成長期)**、mRNA標的低分子医薬品の市場は、将来的にタンパク質標的低分子医薬品に匹敵する大きな医薬品市場となることが期待できる**(発展期)**



(注1) 初期採用者とも呼ばれ、イノベーター(革新者)の次に商品やサービスを購入する人々
(注2) 前期追随者とも呼ばれ、アーリーアダプターからの影響を受ける人々

出典: 当社推定
低分子医薬品の市場規模(※)は、内閣官房 健康・医療戦略室委託事業
「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」より抜粋

競合他社と比較して提携先数で上回ることに見える当社優位性

競合他社はパイプライン型で主に既知のターゲット構造を創薬対象とするのに対し、当社はプラットフォーム型で多種多様なターゲット構造を創薬対象としている
当社技術への信頼とこれまでの提携実績により、近年大型の契約が締結できるようになり全体の提携サイズも競合他社に迫りつつある

会社名	ビジネスモデル	提携先	提携サイズ(注)	疾患領域
14Si Veritas In Silico 設立2016年	プラットフォーム	東レ(2021年) 塩野義(2021年) ラクオリア創薬(2022年) 武田薬品(2023年)	1,144億円 提携総額	がん領域, 中枢神経疾患, 感染症, その他
Arrakis Therapeutics 米国 設立2015年	パイプライン	Roche (2020年) Amgen (2022年)	371億円 契約一時金 (n/a) 提携総額	非開示
Ribometrix 米国 設立2014年	パイプライン	Vertex (2019年) Genentech (2021年)	2,443億円 提携総額	非開示
Anima Biotech 米国 設立2014年	パイプライン	Eli Lilly (2018年) 武田薬品 (2021年) AbbVie (2023年)	3,914億円 提携総額	がん領域, 自己免疫疾患, 中枢神経疾患

(注) 1USD= 140円として換算
出典:Crunchbase及び各社ウェブサイト情報をもとに当社にて作成

RNA標的的低分子創薬におけるAIの活用に関するレビュー論文

当社はAIを活用したRNA標的的低分子創薬の可能性を最大限に引き出すことにおいて、海外よりリーディングカンパニーとみなされている
当社CSO森下は、海外の専門誌より依頼を受け、AIの活用についてレビュー論文を発表した

EXPERT OPINION ON DRUG DISCOVERY
2024, VOL. 19, NO. 4, 415–431
<https://doi.org/10.1080/17460441.2024.2313455>



REVIEW

OPEN ACCESS Check for updates

Recent applications of artificial intelligence in RNA-targeted small molecule drug discovery

Ella Czarina Morishita and Shingo Nakamura

Veritas In Silico Inc, Tokyo, Japan

ABSTRACT

Introduction: Targeting RNAs with small molecules offers an alternative to the conventional protein-targeted drug discovery and can potentially address unmet and emerging medical needs. The recent rise of interest in the strategy has already resulted in large amounts of data on disease associated RNAs, as well as on small molecules that bind to such RNAs. Artificial intelligence (AI) approaches, including machine learning and deep learning, present an opportunity to speed up the discovery of RNA-targeted small molecules by improving decision-making efficiency and quality.

Areas covered: The topics described in this review include the recent applications of AI in the identification of RNA targets, RNA structure determination, screening of chemical compound libraries, and hit-to-lead optimization. The impact and limitations of the recent AI applications are discussed, along with an outlook on the possible applications of next-generation AI tools for the discovery of novel RNA-targeted small molecule drugs.

Expert opinion: Key areas for improvement include developing AI tools for understanding RNA dynamics and RNA – small molecule interactions. High-quality and comprehensive data still need to be generated especially on the biological activity of small molecules that target RNAs.

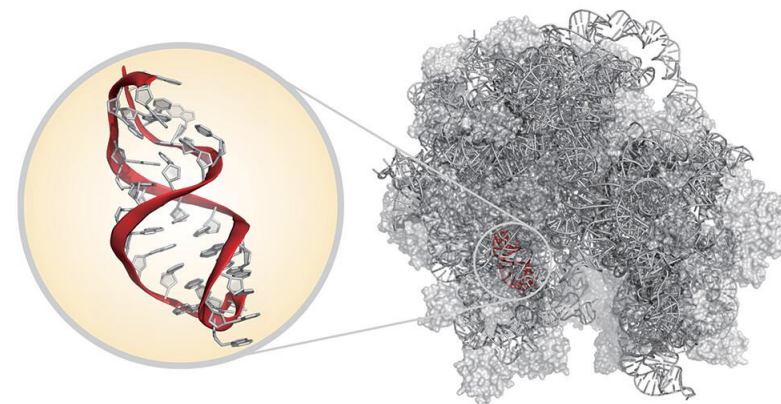
ARTICLE HISTORY

Received 31 October 2023
Accepted 30 January 2024

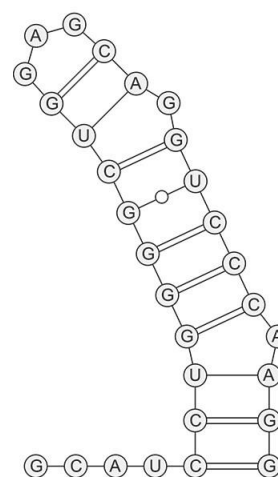
KEYWORDS

Artificial intelligence; deep learning; hit-to-lead optimization; machine learning; RNA structure; RNA-targeted small molecule drugs; target identification

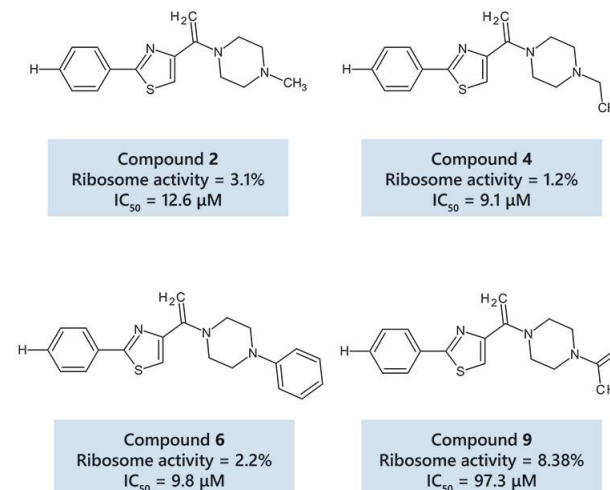
a

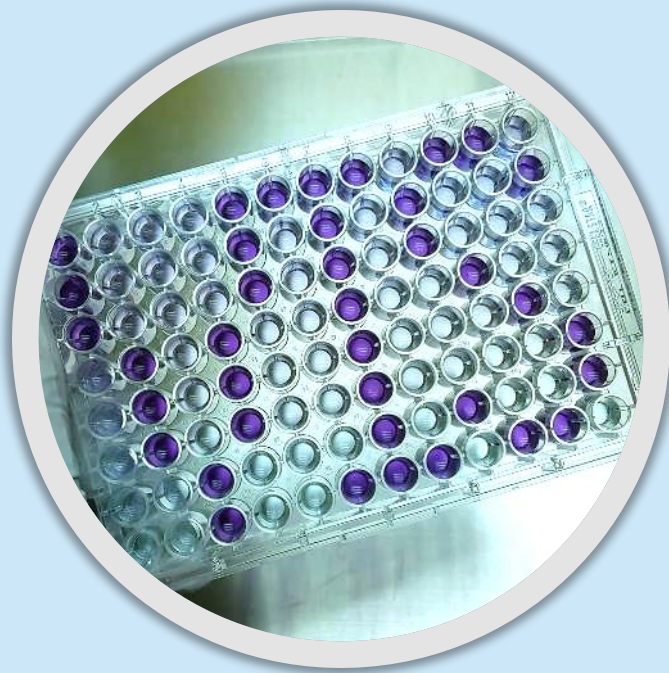


b



c





4 事業進捗

Business Progress

製薬会社との共同研究・共同創薬研究を糧にさらなる事業拡大へ

プラットフォーム型ビジネスの特性を生かしたibVIS®の技術力向上を達成し(2019年～)、より高収益の共同創薬研究契約の締結が可能になった(2021年～)
OncoDesign Services (ODS) との事業協力により、新規契約を獲得してさらなる事業拡大を目指す(2023年～)



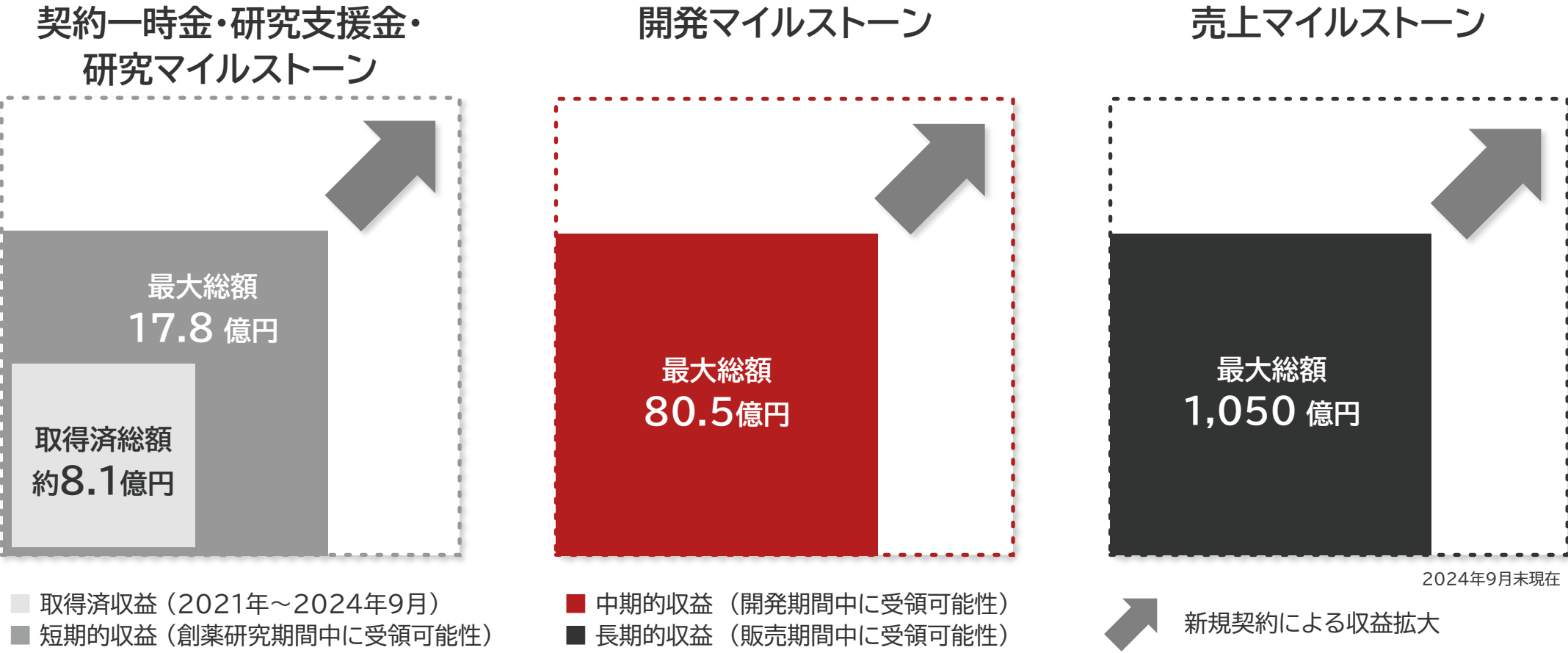
各製薬会社との共同創薬事業において実績が積み上がっている

主な提携先	提携時期	対象疾患	創薬研究進行段階	経済条件
 Innovation by Chemistry	2021年7月	非開示	 製薬会社との共同創薬研究で最も進んでいるプロジェクトは「ヒット化合物検証」の段階	・ 契約金非開示 ・ VIS化合物持分あり^(注)
	2021年11月	感染症 精神・神経系疾患		・ 契約金最大850億円 ・ ロイヤリティあり ・ Q3マイルストーン達成
	2022年12月	がん領域		・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり ・ 細胞で目標プロファイル達成
	2023年6月	非開示		・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり ・ Q2マイルストーン達成

(注) 東レとの共同創薬研究では、医薬品候補化合物の権利は東レと当社で共有し、当社は化合物の持分に応じた収益を受領する

プラットフォーム型ビジネスの収益ポテンシャル

既存の共同創薬研究契約にもとづき短期的(創薬研究期間中)、中期的(開発期間中)な事業収益源を確保している
医薬品が上市された場合には、長期的(販売期間中)に販売額に応じたマイルストーン収入のほか、数%のロイヤリティ収入(下図に含まれない)が見込まれる



(注)取得済総額は、共同研究により取得した収益を含む。マイルストーンは、いずれも既存のプロジェクトが全て成功した場合の最大値を示している
創業の成功確率は相対的に高くはなく、現実的に全てのプロジェクトが成功するわけではない点に十分留意が必要である

2024年12月期 事業ハイライト

▼3月



核酸医薬品の自社 パイプライン創出に 向けた取り組み

三菱ガス化学との共同事業に先行して、より効率よく活性の高い核酸医薬品を取得するための自社研究を開始

▼6月



マイルストーン達成

複数の疾患を対象としたmRNA標的的低分子医薬品の創出を目的とした武田薬品との共同創薬研究において、研究段階における最初のマイルストーンを達成

▼6月



化合物探索が順調 に進展

がん治療薬の創出を志向するラクオリア創薬との共同創薬プロジェクトにおいて、細胞実験で目標とするプロファイルを示す複数の低分子化合物を取得

▼9月



マイルストーン達成

感染症及び精神・神経系疾患に関連する複数の遺伝子を対象としたmRNA標的的低分子医薬品の創出を目指す塩野義製薬との共同創薬研究において、創薬研究進捗に伴うマイルストーンを達成

2024年12月期 講演・展示会等の実施

ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2024



2024年10月9日(火)～ 11日(木)の3日間、パシフィコ横浜にて開催された厚生労働省主催「ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット(JHVS)2024」に企業ブースを出展した

会期1日目のJHVS SHOWCASE①では、当社のmRNA標的的低分子創薬事業について紹介した

BIO-Europe 2024 Company Presentationsセッション



2024年11月4日から6日の3日間、スウェーデン・ストックホルムにて開催されたBIO Europe 2024に、代表取締役社長中村とCSO森下が参加し、欧米の製薬会社にプラットフォーム技術を紹介した

初日のCompany Presentationsセッションでは、CSO森下が登壇し、製薬業界の新たなパラダイムになりえるmRNA標的的低分子創薬のポテンシャル及びそれを実現する当社プラットフォーム技術について講演した

第41回メディシナルケミストリーシンポジウム



11月20～22日に京都テルサにて開催された第41回メディシナルケミストリーシンポジウムに参加した

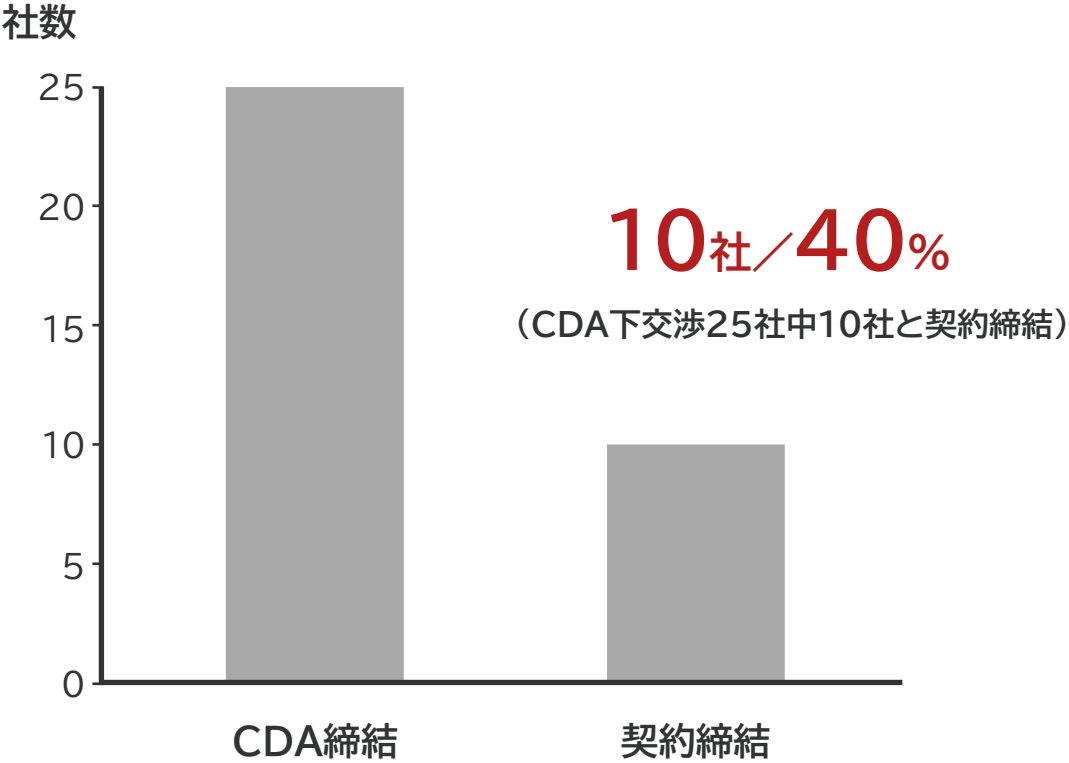
会期二日目には、代表取締役社長中村による招待講演があり、多くの参加者に聴講いただいた。同日行われたポスター討論会では、主任研究員大津が当社プラットフォーム技術について発表し、多くの参加者にご覧いただいた

11月20～21日には企業展示ブースも出展した

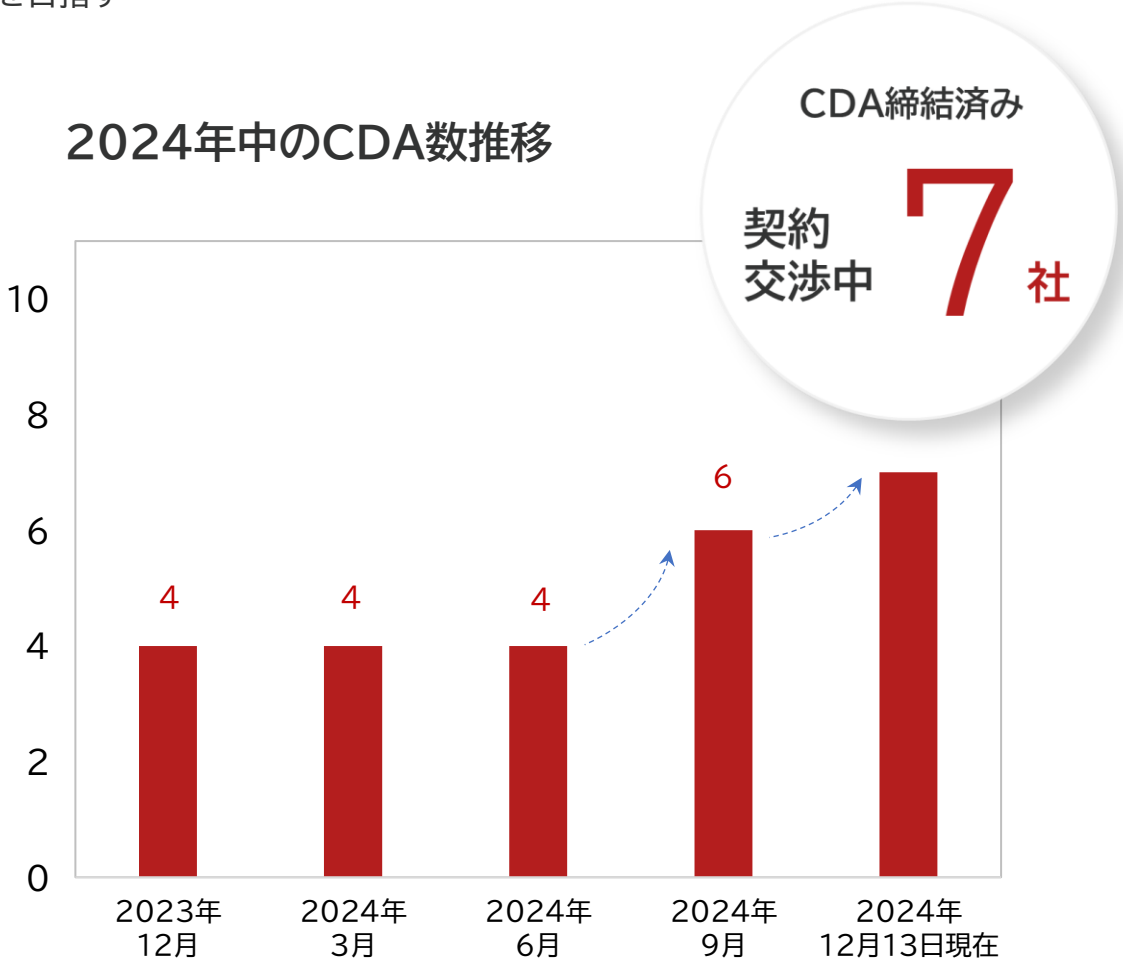
年間2社との新規提携に必要な秘密保持契約数の確保

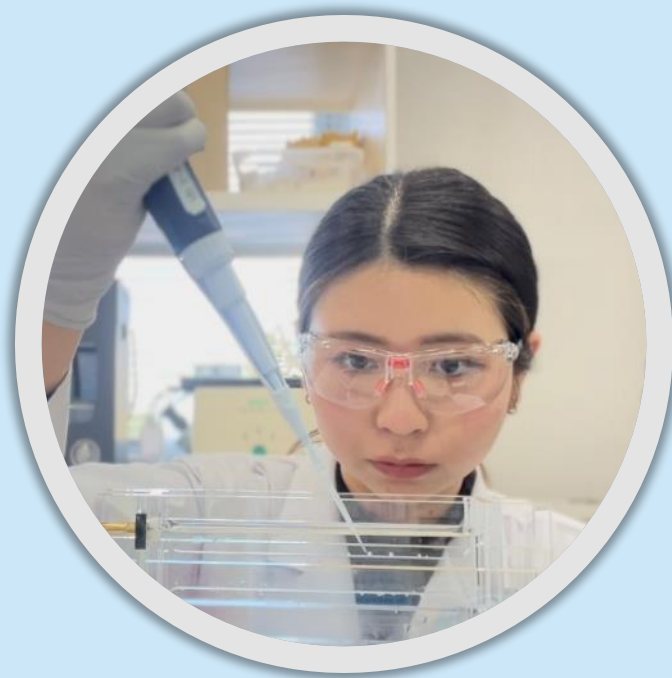
秘密保持契約(CDA)を締結した製薬会社のうち、CDA下の交渉の結果契約まで至った確率は40%、CDA締結から契約に至るまでの期間(中央値)は 14 か月
2025年以降も毎年2社と契約締結するため、その数を期待できるCDA数の獲得を目指す

CDA下交渉から契約締結の推移



2024年中のCDA数推移



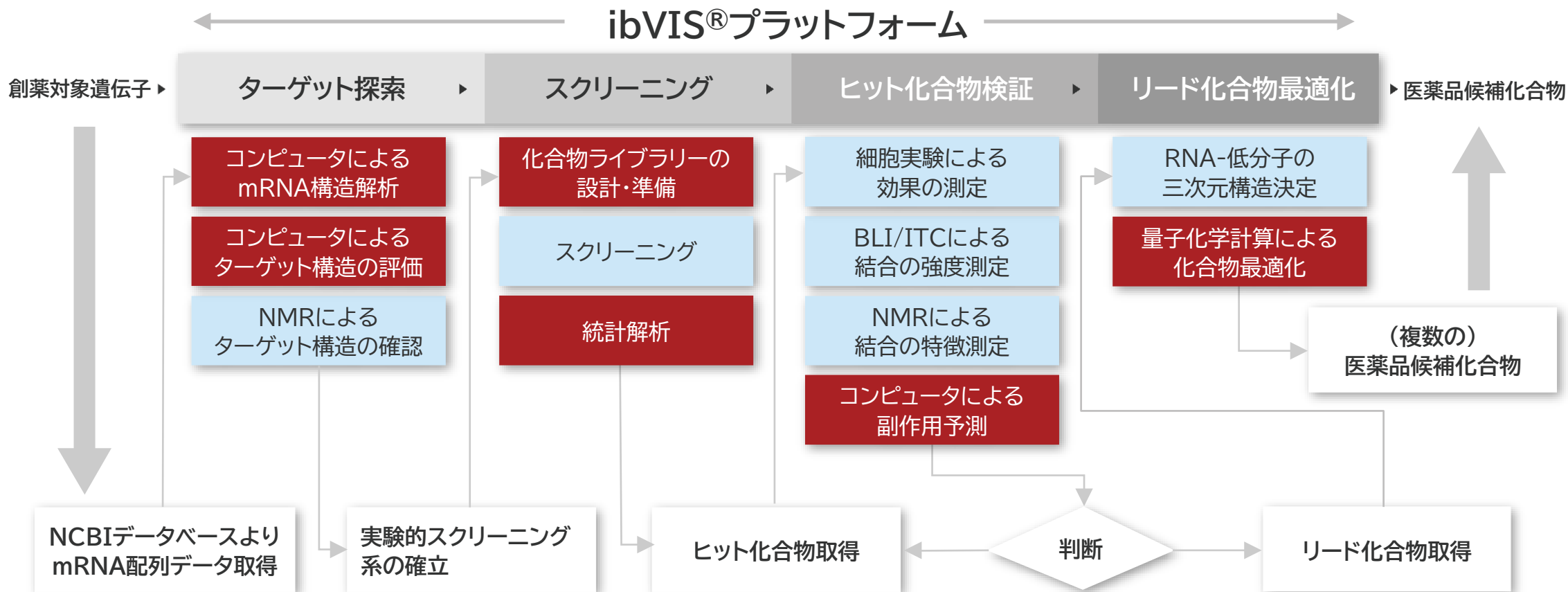


5 創薬プラットフォーム

Drug Discovery Platform

ibVIS[®]は技術検証と実績で裏打ちされたワンストッププラットフォーム

ibVIS[®]は一連の創薬技術とデジタル技術より成り、mRNA配列データから医薬品候補化合物の取得までワンストップで実行可能となっている
既に、ヒット化合物検証までは共同創薬研究等で実績があり、リード化合物最適化の技術は社内研究により実効性を証明している



(注)製薬会社は、当社が技術供与したスクリーニング法を使ったスクリーニングの実施および細胞実験を主に担当する
加えて製薬会社側では化合物の合成展開、薬物動態及び安全性研究、化合物の効果を検証する動物実験などが実施される

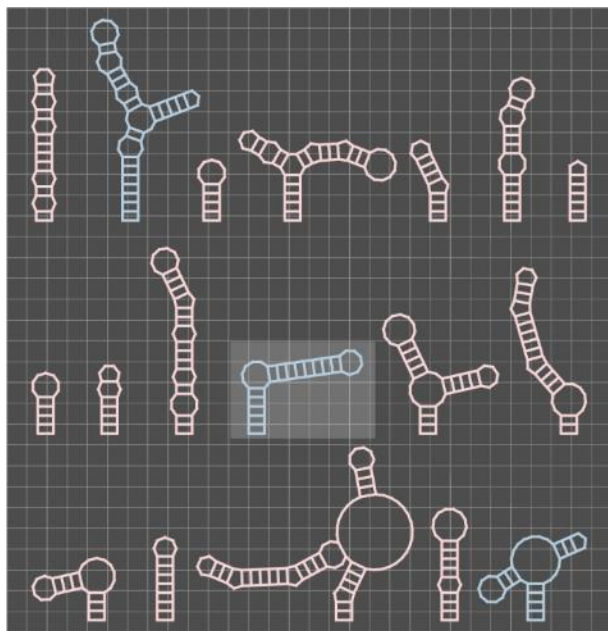
デジタル技術

創薬技術

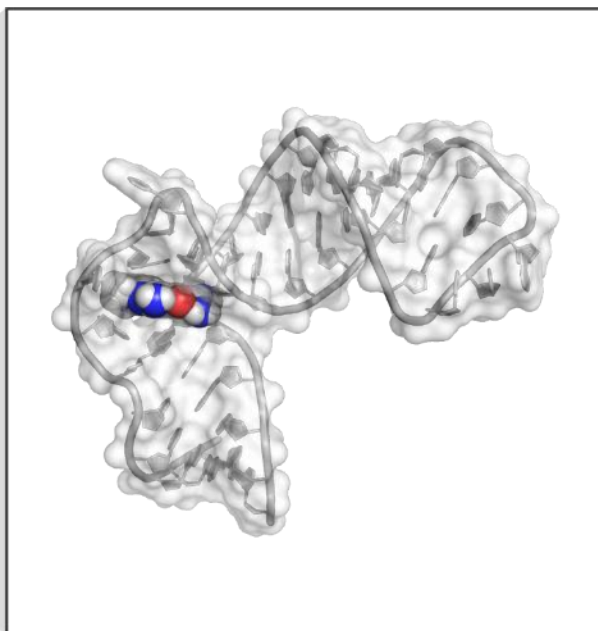
mRNA標的の可能性を最大限引き出すibVIS®のターゲット探索

ibVIS®のターゲット探索は、独自のインシリコ(コンピュータ)RNA構造解析により、製薬会社が任意に選択したmRNAから高速かつ正確に複数の標的(ターゲット構造)を探索することが可能。当社の競争優位性の一つとなっている

インシリコによる mRNA構造解析



低分子化合物の標的となる mRNAターゲット構造



01 高速

mRNA上のターゲット構造を、実験的方法を用いるよりもかなり短時間で発見できる

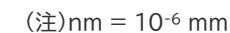
02 正確

当社のインシリコ技術を使って発見されたターゲット構造の精度は90%以上、一方、他の計算方法では60~70%程度に過ぎない ※当社調べ

03 妥当性の高いターゲット構造

当社が選択するターゲット構造は、低分子創薬に最適な標的であることを確認するために厳格にテストされている

既存創薬が扱う研究領域は生物学から化学。代表中村の20年にわたる経験と実績に基づき、よりミクロな物理学の理論(統計力学及び熱力学)を既存創薬の研究領域に取り込むことでmRNAの構造を解析し、ターゲット探索を実現可能にした。

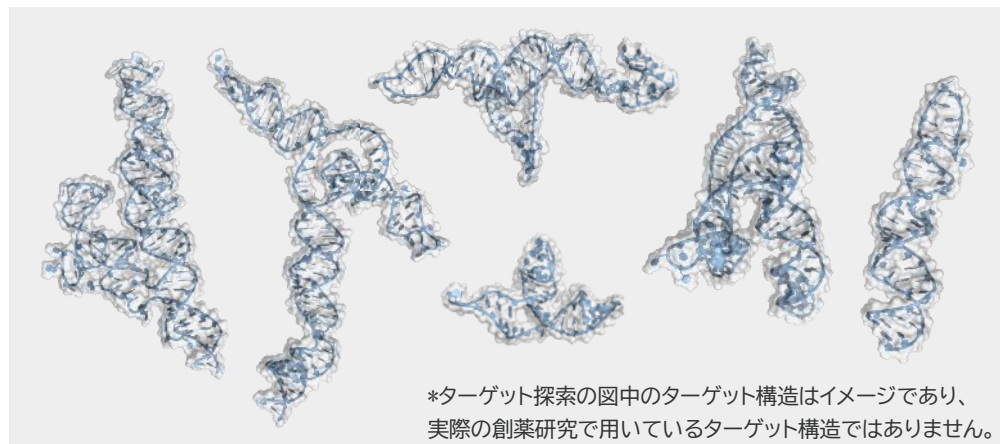


高い達成率が証明するibVIS®のスクリーニング技術

製薬会社10社との共同創薬プロジェクトにおいて、がん、中枢神経疾患、感染症等に対して化合物数 数万～数十万程度のスクリーニングを50本以上実施した mRNA中にターゲット構造を発見し(左図)、ターゲット構造に対するスクリーニングを実施(右図)。結果的に、約94%の成功率でヒット化合物を取得している

2024年12月初旬現在

ターゲット探索



mRNAに対して低分子化合物の標的となる
複数のターゲット構造を発見

達成率 約**98%**(注1)

(注1) 42個中41個のmRNAでターゲット構造を複数同定

スクリーニング



mRNA中のターゲット構造に対して高速・高感度スクリーニング
(qFRET)を実施し、活性を示す複数のヒット化合物を取得

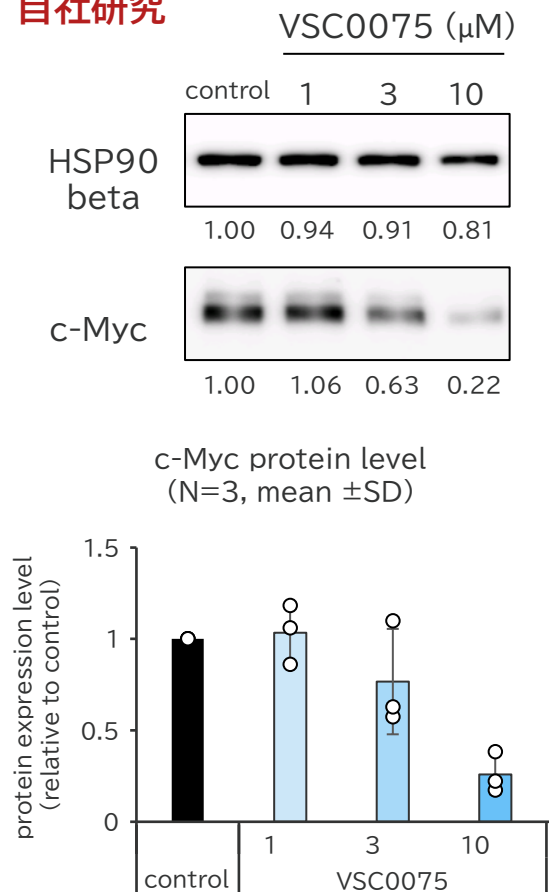
達成率 約**96%**(注2)
(化合物2万以上用いた場合 100%)

(注2) 54個のターゲット構造に対してスクリーニングを実施し、
52スクリーニングで当社が定義するヒット化合物を複数取得

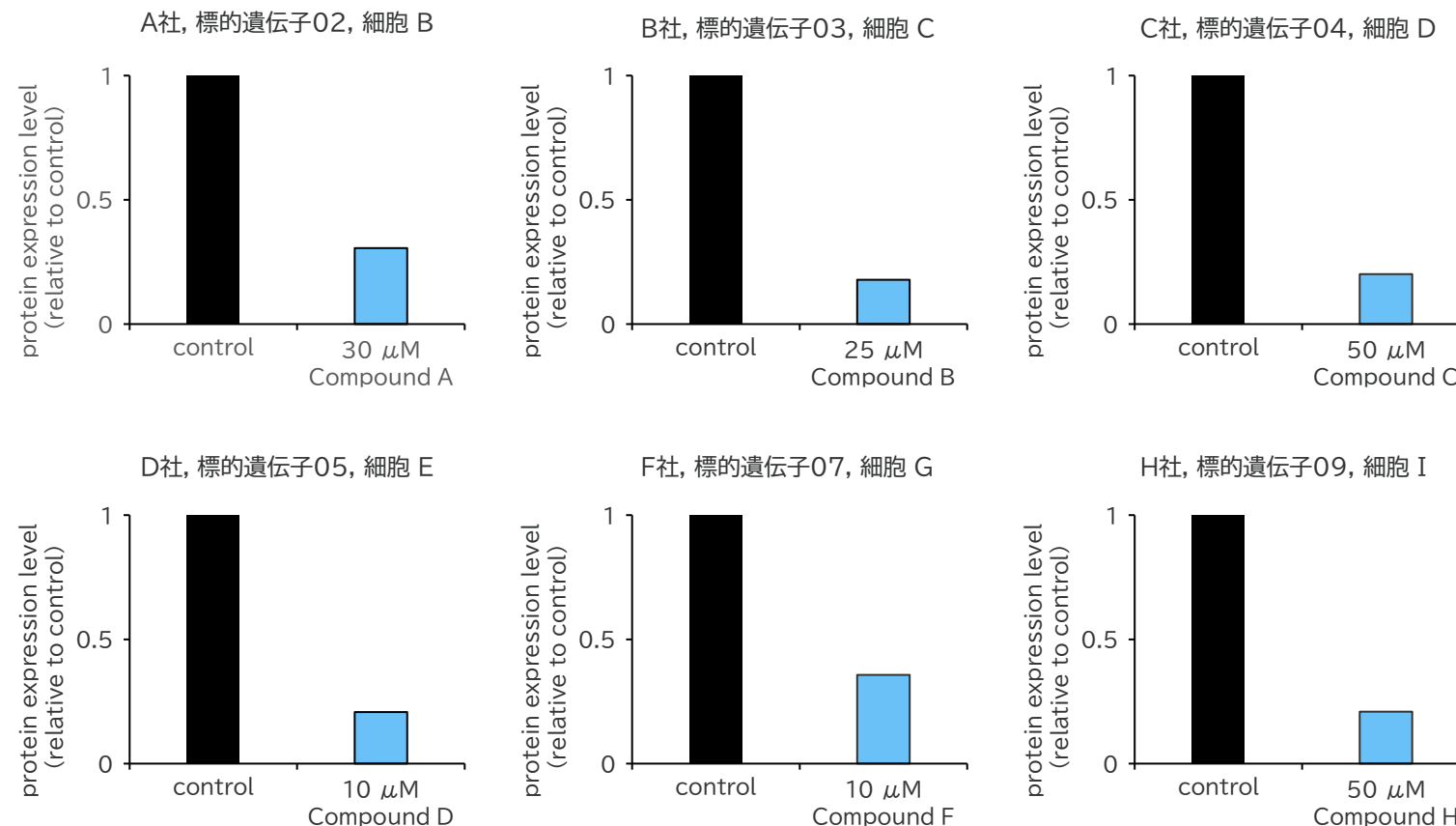
スクリーニングで取得したヒット化合物は「細胞内での効果」を示した

自社研究および製薬会社との共同研究においてスクリーニングで取得したヒット化合物は、化合物がない場合(control)と比較して細胞内で対象とする疾患関連タンパク質の量を減少させる。この細胞内での効果を示したヒット化合物の効果について、各種RNA測定法を使って検証し(P37)、リード化合物最適化に進める

自社研究



製薬会社との共同研究

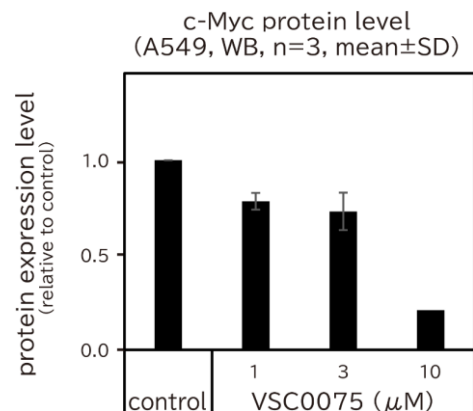


mRNAと化合物の結合状態を詳細に解析する各種RNA測定技術を保有

「細胞内での効果」を示すヒット化合物およびヒット化合物を出発化合物として新たに合成した化合物が、創薬対象であるmRNAのターゲット構造にどのように作用するのか(結合の仕方、結合強度、結合の特徴など)を各種RNA測定技術で解析することにより、医薬品として好ましい特性を示す化合物(リード化合物)を取得する

細胞実験

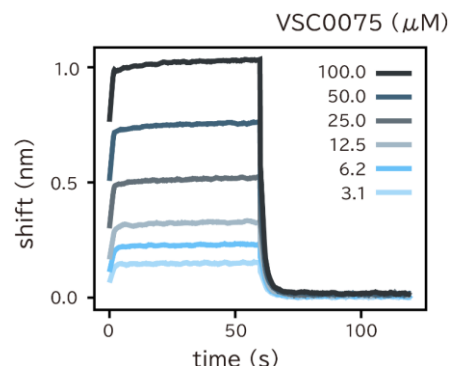
細胞での活性を調べる実験



(注) 本ページの図は、化合物VSC0075を用いた当社での各種測定結果をもとにしたイメージ図です。

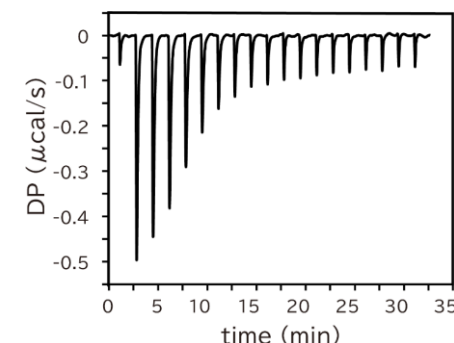
BLI測定

RNAと化合物の
結合速度を調べる
実験



ITC測定

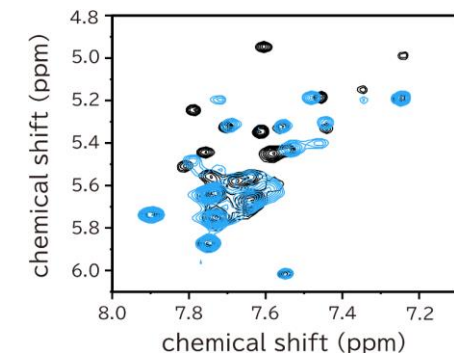
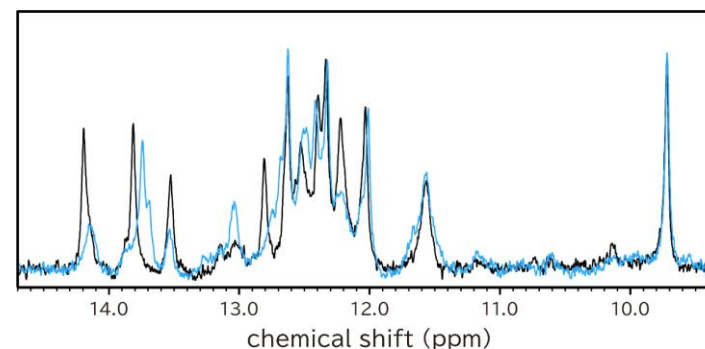
RNAと化合物の
結合強度を詳細に
調べる実験



NMR測定

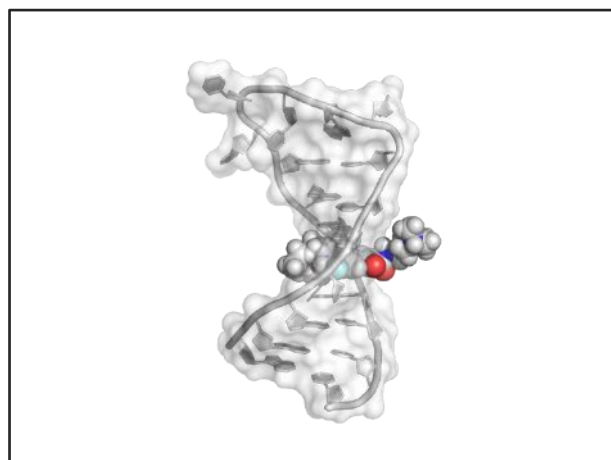
RNAと化合物の
結合部位を調べる
実験

--- 低分子化合物あり
--- 低分子化合物なし



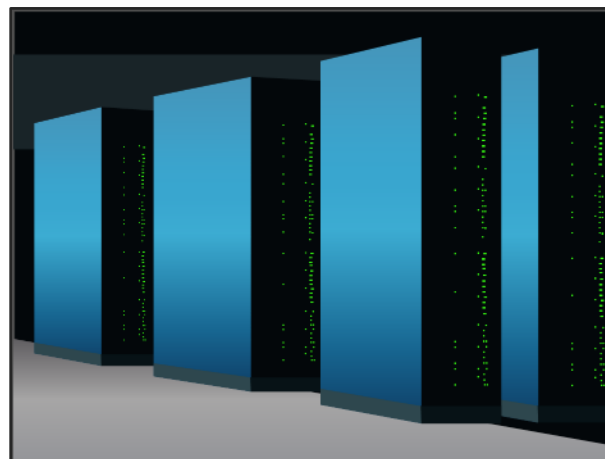
RNA構造の実測技術と最先端のコンピュータ技術を利用した化合物最適化

RNA に特化した
構造解析技術



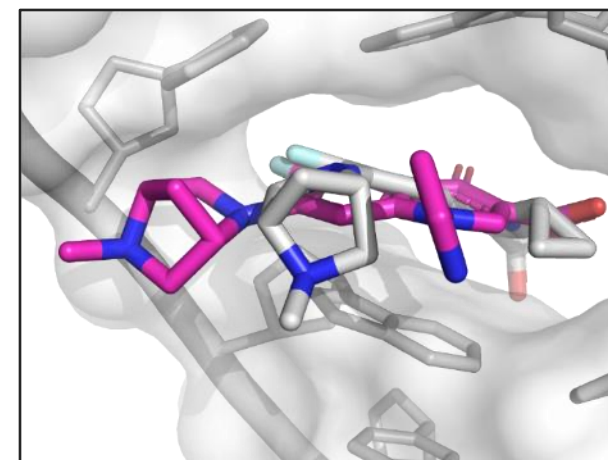
RNAのX線結晶構造解析とNMRという稀有な専門知識を持つサイエンティストにより、当社にはRNAの3次元構造決定を行うための技術が備わっている

mRNA標的-低分子化合物の
相互作用解析技術



日本製の最先端のスパコン「富嶽」を駆使して、mRNA標的と低分子化合物の相互作用を徹底的に解析できる

合理的な
mRNA標的化合物最適化



当社の技術は、mRNA標的に対してより高い活性と選択性を持つ低分子化合物を合理的に設計することを可能にする。その結果、従来の方よりも迅速かつ効率的に低分子化合物を最適化することができる

リード化合物最適化に関する発表

RNA構造により強く結合する新規化合物をコンピュータ技術で設計

当社のリード化合物最適化技術の有用性は、mRNA標的的低分子医薬品の合理的な設計に量子化学計算の一種であるフラグメント分子軌道(FMO)法が有用であることを示した当社の学術論文により実証している。この学術論文は、低分子化合物とRNAの結合の実測値とFMO法による計算値の相関関係を示した世界最初の例である



当社CSO・森下のデザインが表紙を飾っている



pubs.acs.org/acschemicalbiology

Articles

Probing RNA–Small Molecule Interactions Using Biophysical and Computational Approaches

Amiu Shino, Maina Otsu, Koji Imai, Kaori Fukuzawa, and Ella Czarina Morishita*

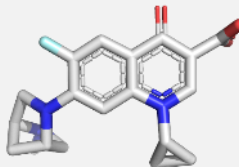
Cite This: *ACS Chem. Biol.* 2023, 18, 2368–2376

Read Online

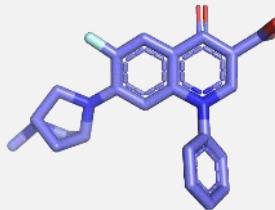
(注) —VISのサイエンティスト

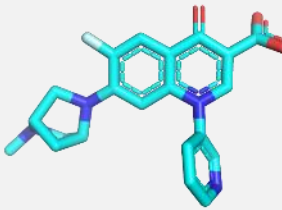
論文掲載結果の一部

スクリーニングで得られた
基点化合物



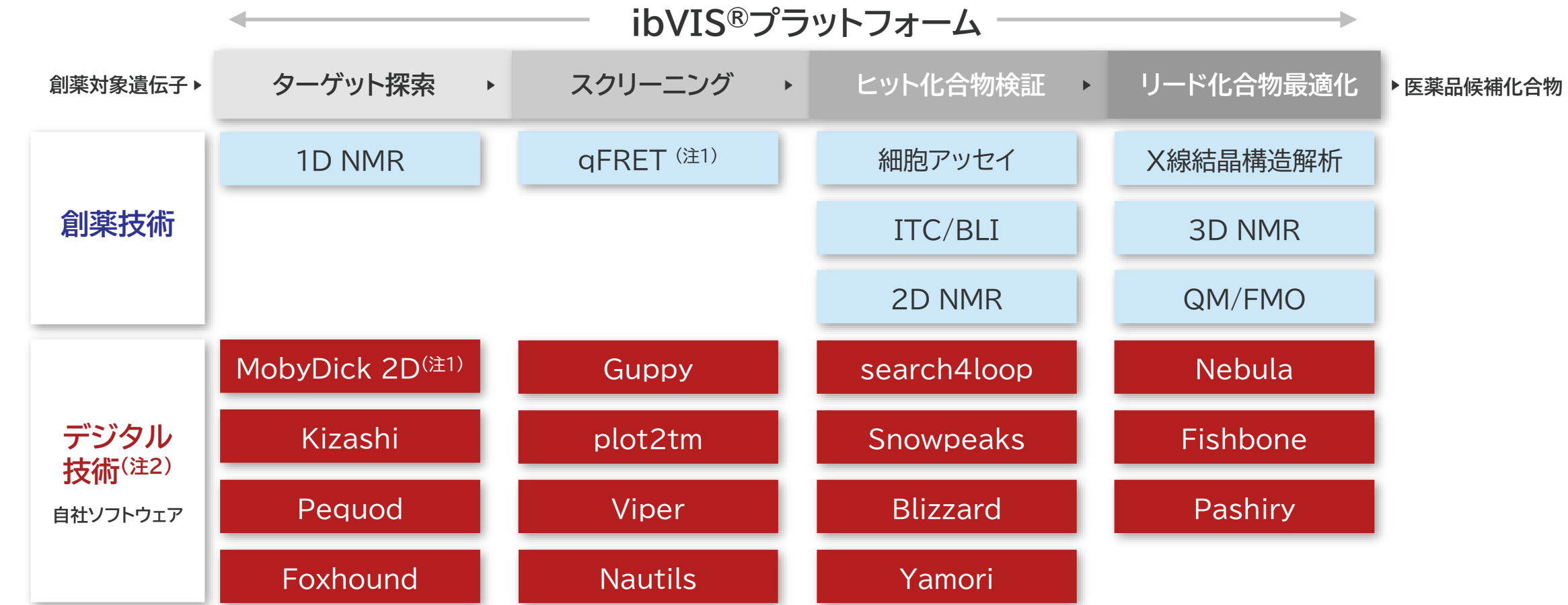
より高い活性をもつと予測した
新規設計化合物





特許とデジタル技術でibVIS[®]の独占性を二重に担保

当社のibVIS[®]は、mRNA向けに改良した創薬技術と研究者のノウハウ等をソフトウェア化したこれら各種デジタル技術で構成される
創薬技術とデジタル技術の一部をカバーする特許と自社デジタル技術の秘匿化によって、ibVIS[®]の独占性は二重に担保して事業の優位性を確保している



(注1) 特許6781890号 RNAの機能を制御する化合物のスクリーニング方法
(注2)大量のデータ解析や実験をサポートする自社製作ソフトウェア



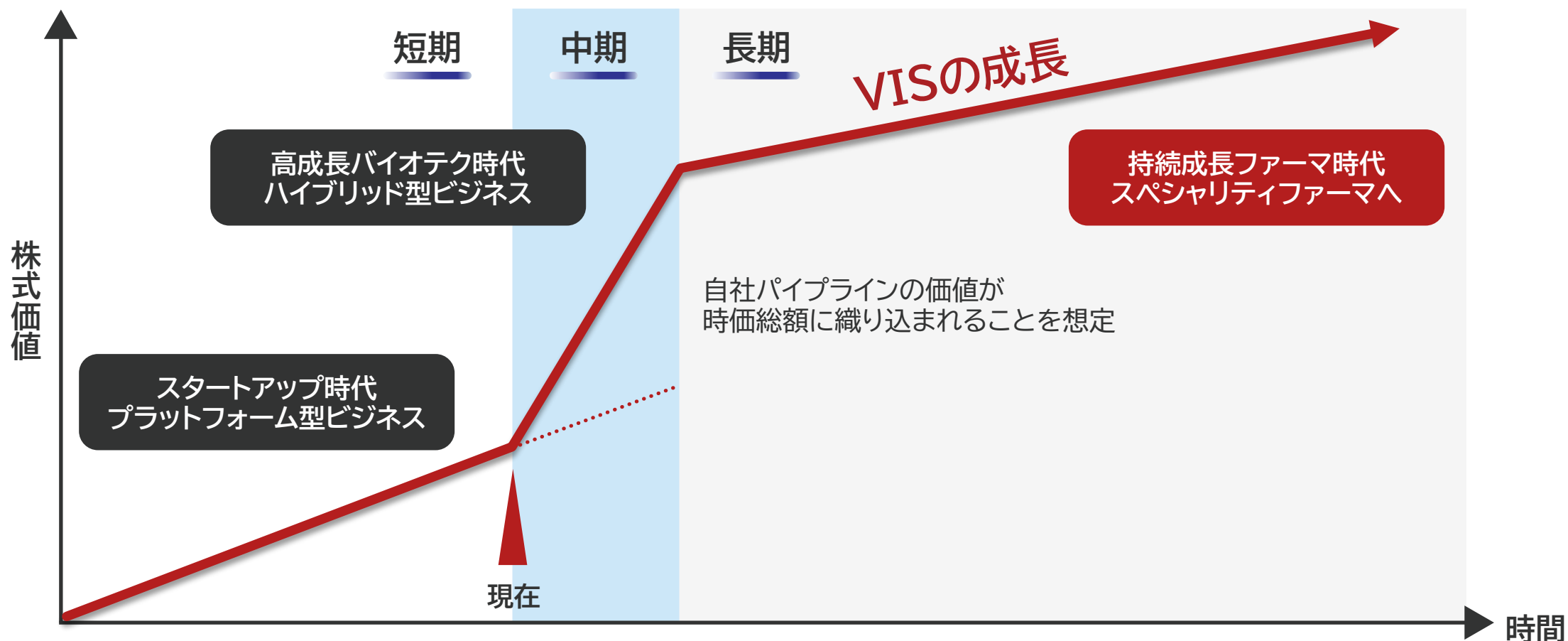
6 成長戦略

Growth Strategy

スタートアップ・バイオテック企業から持続成長可能なスペシャリティファーマへ

当社は現在、プラットフォーム型ビジネスから高成長を目指すハイブリッド型ビジネスへの転換を図っている

最終的には、持続的な成長を遂げるため、mRNA関連の創薬を主軸とし、研究開発・販売機能等を備えた製薬会社(スペシャリティファーマ)へ移行する方針



(注) あくまでも当社が目標とする成長のイメージであり、実際の時価総額の推移を示唆するものではありません

mRNA関連創薬の事業の多角化による持続的成長を目指す

当社のインシリコRNA構造解析は、mRNA関連の様々な創薬に応用可能。ハイブリッド型ビジネスに転換するにあたり、核酸医薬品を自社パイプラインの有力候補とする。これらに加え、アカデミア・企業との共同研究等を通じてmRNA医薬品とncRNA標的医薬品を事業の一つとすることで、将来的な事業の多角化を図る

短中長期・プラットフォーム

← 中長期・パイプライン →

← 中長期・パイプライン →

← 長期・共同研究等を通じた事業化 →

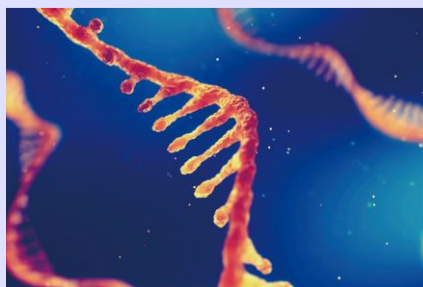
01



mRNA標的低分子医薬品

タンパク質標的の低分子創薬では技術的に解決できない治療ニーズや、抗体等、高価な治療法しかない治療ニーズへの解決策となる

02



核酸医薬品(mRNA標的)

副作用が少なく細胞膜透過性の高いシンプルな核酸医薬を創出する希少疾患の治療ニーズへの解決策となる

03



mRNA医薬品

医療用のmRNAの配列を設計するタンパク質補充療法に代わる治療ニーズへの解決策となる

04



ncRNA標的医薬品

タンパク質の設計図ではないRNA(ncRNA)を制御する低分子医薬品・核酸医薬品を創出する

中期経営計画期間中の各年度目標と2030年のVISのビジョン

当社の2030年のビジョンは、「スペシャリティファーマとしての地歩を確立すること」。このビジョンを実現するため、2025年から2027年にかけてプラットフォーム型ビジネスに加えてパイプラインも保有するハイブリッド型ビジネスの確立を図る

【従来のKPI】

- ・事業収益額
- ・新規契約獲得数

年間目標 **2社** → 2024年度達成 **0社**

2024年12月13日現在

2024年度

プラットフォーム型
ビジネスの進展

ハイブリッド型
ビジネスの準備着手

2025年度 ハイブリッド型 ビジネス始動

- ・新規契約**4件**※4獲得
- ・パイプライン1本目創出
- ・新川崎研究所移転準備

2026年度

- ・新規契約2件獲得
- ・パイプライン2本目創出
- ・前臨床試験の開始
- ・新川崎研究所移転完了

2027年度

- ・新規契約2件獲得
- ・パイプライン3本目創出
- ・前臨床試験対応

2030年度

スペシャリティファーマ
としての地歩を確立

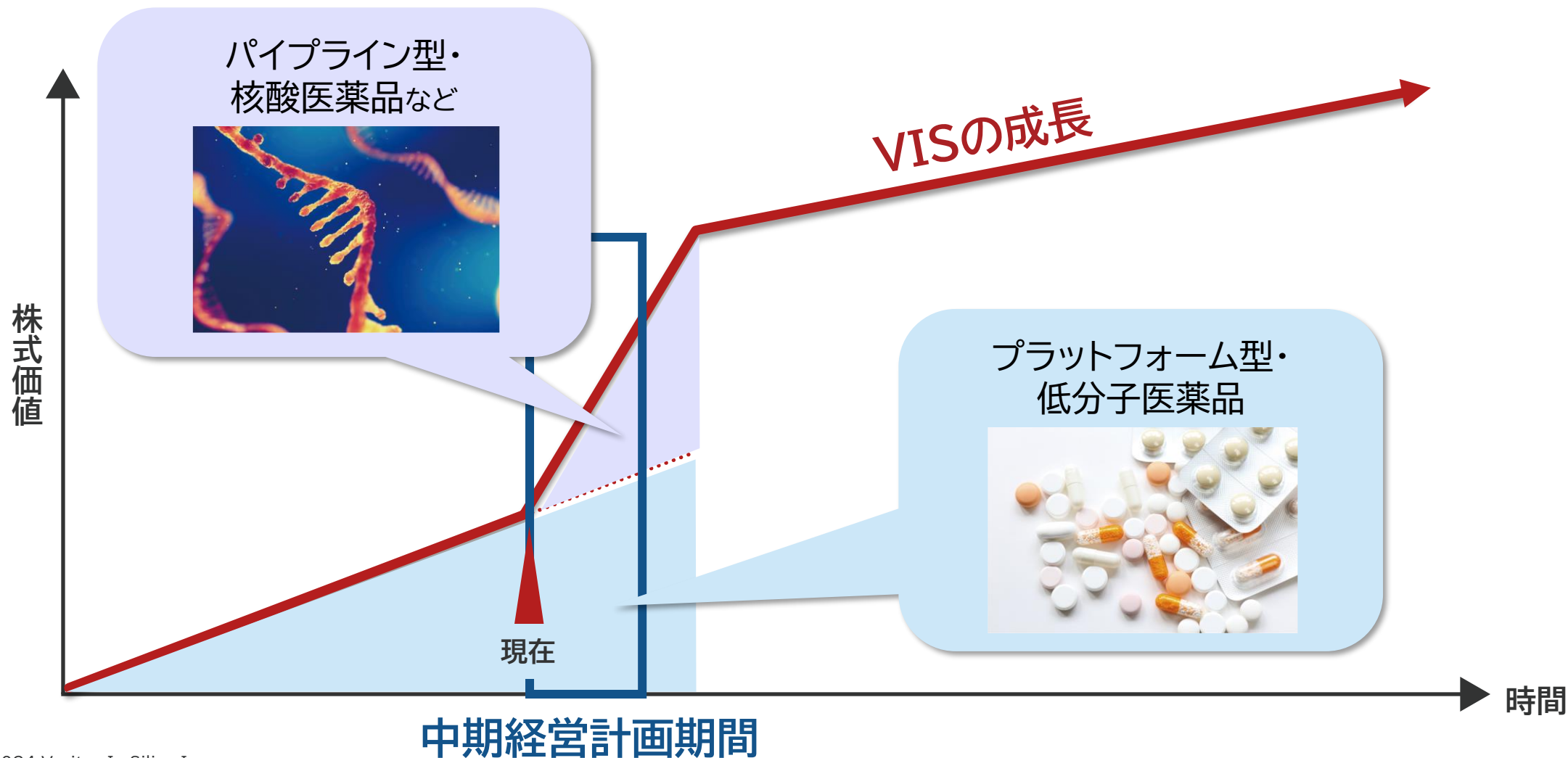
【中期経営期間中のKPI】

- ・新規契約獲得数※1
年間目標 **2社**
- ・パイプライン創出数※2
年間目標 **1本**
- ・事業収益額※3

※1 プラットフォーム事業の進捗を測定する目安とします
※2 2025年度からパイプライン型ビジネスを開始するにあたり、新たなKPIとして設定しました。特許の申請をもってパイプラインの創出とカウントします
※3 プラットフォーム事業とパイプライン事業の進捗のバランスを測定する目安とします
※4 2025年度には、2024年度に契約締結予定であった2件に加えて、さらに新規の契約2件、合計4件の契約獲得を目標とします

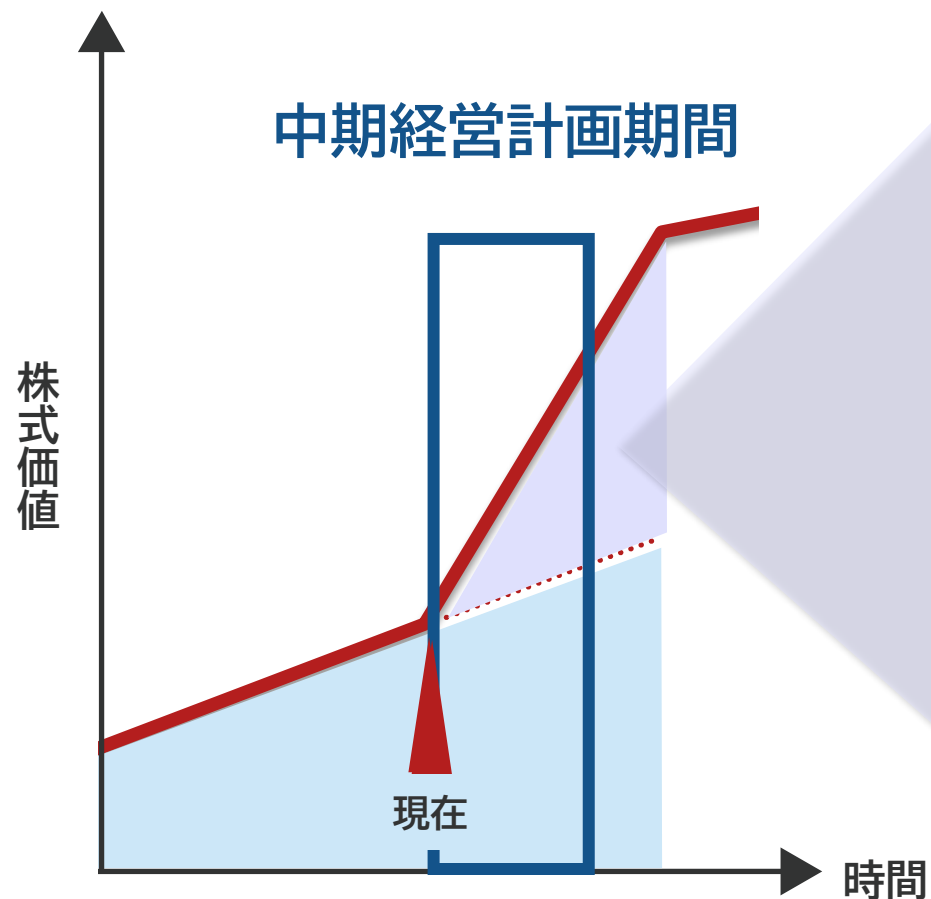
スペシャリティファーマの前段階としてハイブリッド型ビジネスに転換

mRNA標的 low molecular weight 医薬品のプラットフォーム型ビジネスを拡大しつつ、核酸医薬品を中心に自社バイプラインの創出を目指す



効率的なパイプライン創出ビジネスの開始と拡大に向けた取り組み

任意のmRNAを創薬対象とすることができる当社のibVIS®プラットフォームの技術的強みを活かし、現在価値の高いプロジェクトを開始する



パイプライン創出の方針

- 現在の株式価値に資するパイプラインの創出
 - ・ 将来価値の総額が大きいもの
 - ・ 上市までの期間が短いもの
 - ・ 現在の株式価値において影響が大きい
直近のコストを低減させるための施策
- 2025年の最初のパイプライン
 - ・ 研究期間の短い核酸医薬品を候補とする
 - ・ 上市までの期間が比較的短い希少疾患を
創薬対象の候補とする
- より効率的なパイプライン創出
 - ・ 協力企業との研究業務や費用の分担
 - ・ アカデミアとの共同研究等の有効活用

事業安定を支える核酸医薬品のパイプライン候補およびその他プロジェクト

希少疾患を中心に、ハイブリッド型ビジネスの基礎となる核酸医薬品の自社パイプライン候補を保有。核酸医薬品は創薬研究期間が当社では最短8か月と短いため、新規プロジェクトも有力な自社パイプライン候補となる。mRNA医薬品とncRNA標的医薬品のプロジェクトは、現在基礎研究(ターゲット探索)を実施中である



(注) 特許6934695号 核酸医薬とその使用

三菱ガス化学との核酸医薬の研究・開発・製造の共同事業に関するMOU締結

三菱ガス化学(MGC)との核酸医薬の共同事業を通じて、核酸医薬の品質向上や製造過程管理に貢献
開発以降のプロセスがスムーズに進められるほか、将来の成功確率も高まることが期待できる

URL: <https://contents.xj-storage.jp/xcontents/AS82025/5f77c3b6/72ed/42c9/ae0c/b41840ee1416/140120241002592959.pdf>



- **当社の狙い**
いち早い核酸医薬のパイプライン創出
(物質特許の取得)
- **MGCの狙い**
新しいCDMO事業に資する核酸医薬品の
製造方法の確立

MGCとMOU締結 (10/9リリースの内容)

MGCは核酸医薬を今後成長が見込める市場ととらえ、
核酸医薬のCDMO事業での参入を検討

当社が核酸医薬品を創出する際に、MGCがより効率のよい
新たな製造工程の検討を行うことで、核酸医薬品の品質を担保

共同事業の開始に向けた検討が進行中

LCC社とのmRNA標的 low 分子医薬品の共同創薬事業に関するパートナーシップ合意

Liverpool ChiroChem Ltd. (LCC)は、創薬プロセスで使用される化学構成要素の製造を行うサービスプロバイダー
当社と相補的な化学リソースを持つLCCと提携することで、両社で低分子医薬品の自社パイプライン創出を手掛けることが可能に

URL: <https://contents.xi-storage.jp/xcontents/AS82025/efa59911/3af5/4188/97a5/4a15739370ec/140120241008595033.pdf>



- **両社の狙い**
効率的に低分子医薬品のパイプラインを創出し、化合物の権利を両社で保有

LCCとのパートナーシップ合意 (10/9リリースの内容)

LCCの高度な化学プラットフォームと当社のmRNA標的
低分子創薬プラットフォームibVIS®を活用

LCCの特徴であるフラグメントライブラリーを活かし、
未公開のmRNA標的に作用するフラグメント化合物※を取得

パートナーシップの実施に必要な契約締結等の手続きが進行中

※フラグメント化合物は、創薬において、標的タンパク質と効率よく結合する
分子を探索するために用いられる分子量が300未満程度の小さな分子

日本におけるプラットフォーム事業の実績をもとにした海外展開

2023年6月の武田薬品との提携を皮切りに、大手製薬会社や海外製薬会社を創薬パートナーとして獲得してさらなる事業拡大を図る

日本の製薬会社との提携実績に比べ、フランスの薬品開発業務委託会社(CRO)であるOncodesign Services(ODS)との事業協力が海外展開を後押しする

欧州主要ファーマ



2023年5月 事業協力(MOU)

欧州企業

3/7 社

CDA締結中

¹⁴Si



2023年6月
共同創薬研究契約締結

米国主要ファーマ

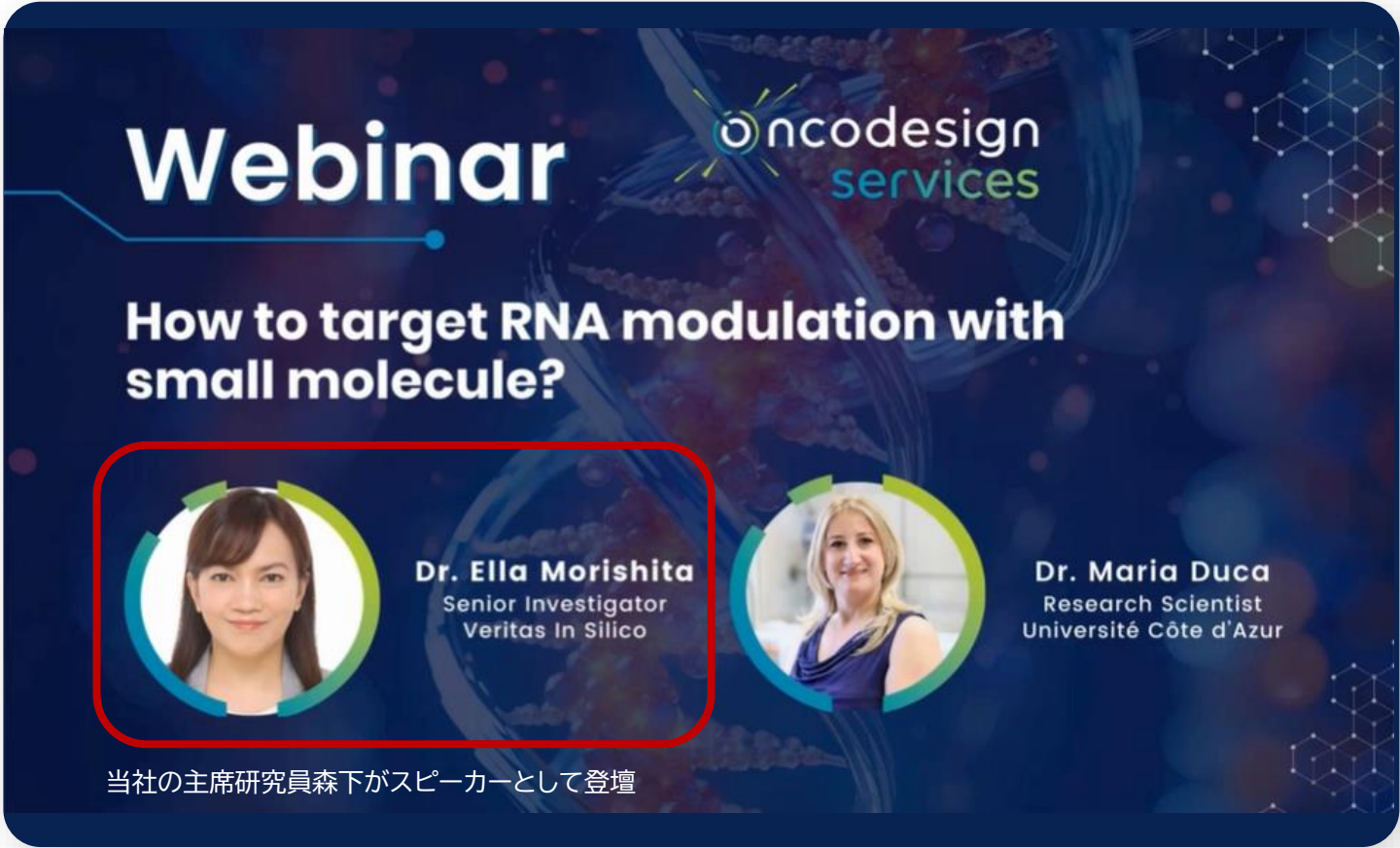
これまでアプローチできなかったODSの顧客層との契約締結を目指す

ODS主催でmRNA標的の低分子創薬を啓発するウェビナーを2024年3月に開催。これをきっかけに欧州製薬企業とCDAを締結し、現在契約交渉中
当社が欧州に進出するにあたり、製薬会社と契約交渉および契約締結後の共同創薬研究において、ODSは当社の強力なパートナーとなっている

会社名	Oncodesign Services (ODS)
代表者	Fabrice Viviani, President and CEO
設立年	1995年
社員数	230名 (PhD取得者 22%)
顧客数	1,000
WEB	https://www.oncodesign-services.com/

2024年9月末現在

出典: Oncodesign Services社のウェブサイト



Webinar

oncodesign
services

How to target RNA modulation with small molecule?

Dr. Ella Morishita
Senior Investigator
Veritas In Silico

Dr. Maria Duca
Research Scientist
Université Côte d'Azur

当社の主席研究員森下がスピーカーとして登壇

社会や環境の持続可能性に配慮した経営

製薬会社やアカデミアとの連携を通じて医薬品の創出に真摯に取り組むことにより、より多くの患者さまの健康と福祉に貢献する
社会の科学技術力の向上や働きがいのある企業風土の醸成等を通じて、社会や環境の持続可能性に配慮した経営を実践する

事業活動に内在 した取り組み

- 希望に満ちたあたたかい社会
を実現するために
- ◆ 新規の創薬技術で未だ満た
されない医療ニーズに応える
 - ◆ 創薬パートナーと革新的な
医薬品の創出に取り組む

事業基盤を構築 する取り組み

- ◆ 優秀な人材の確保と育成
- ◆ 働きがいのある企業風土
の醸成
- ◆ 人材の多様化と 一人ひとり
を活かす組織づくり
- ◆ 働きやすい職場環境
(年次有給休暇取得の促進)
- ◆ 従業員の健康管理・増進
- ◆ グリーン購入法に沿った購買

サステナブルな社会の実現 科学技術の持続性 に向けた取り組み

- ◆ mRNAに関するアカデミア
との共同研究を通じた当社
の科学力の向上
- ◆ 大学等教育機関での講義・
講演を通じたアカデミアに
対する貢献

社会の科学力の持続性に向けた取り組み

アカデミアとの共同研究や講義・講演を通じて、当社創薬技術の向上を図るとともに、日本の科学技術の向上ひいては持続可能な社会の実現に貢献する

mRNAに関するアカデミアとの共同研究

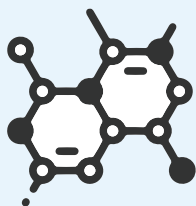
大阪大学 2件

千葉工業大学

上智大学

東京農工大学

甲南大学



mRNA標的
低分子医薬品

新潟薬科大学

東京慈恵会医科大学

Stanford大学



核酸医薬品

教育機関等での講義・講演

毎年実施の講義

東京科学大学

千葉工業大学

2024年実施の社長講演

日経ビジネスフォーラム

有機合成化学協会

mRNAターゲット創薬研究機構

LINK-J 創薬のフロンティア

バイオインダストリー協会(JBA)

文部科学省 JASIS2024セミナー

第41回メディシナルケミストリーシンポジウム

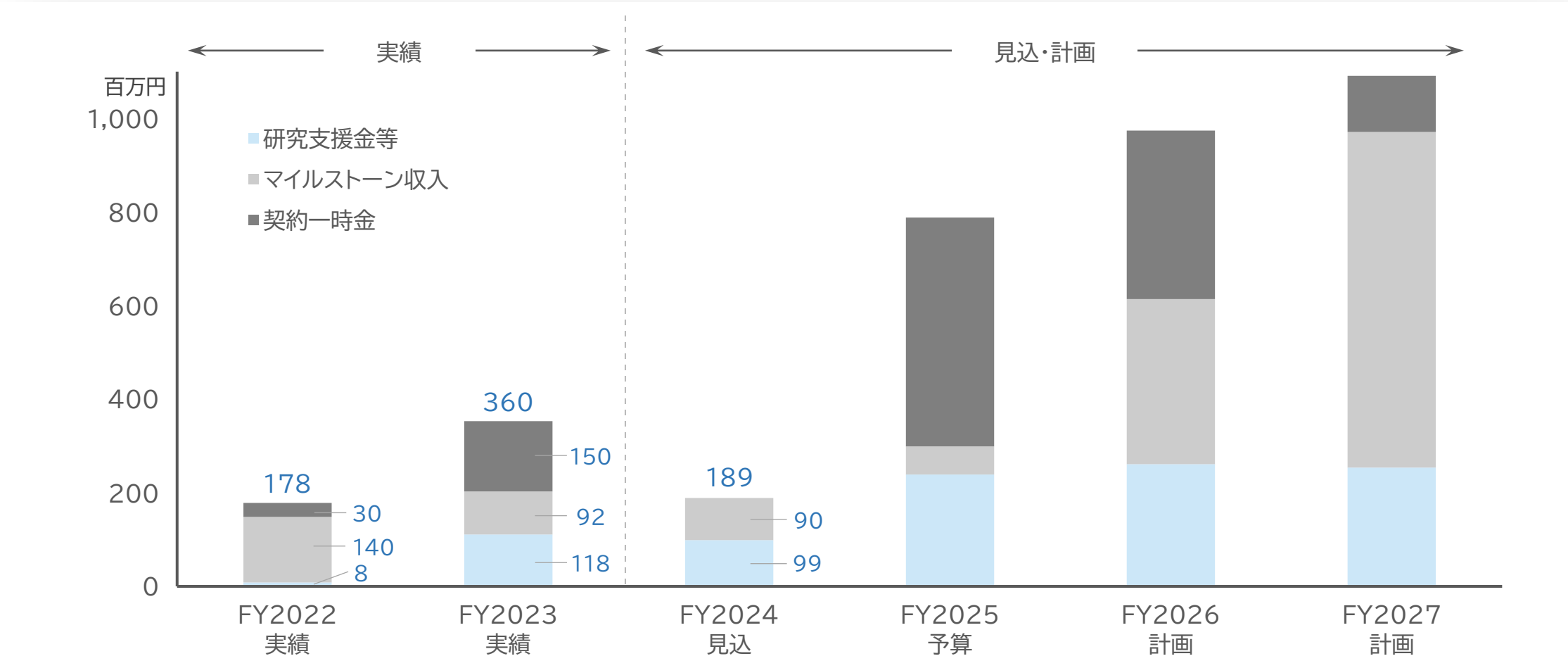


7 財務ハイライト

Financial Highlights

各年度 事業収益の実績及び見込/計画

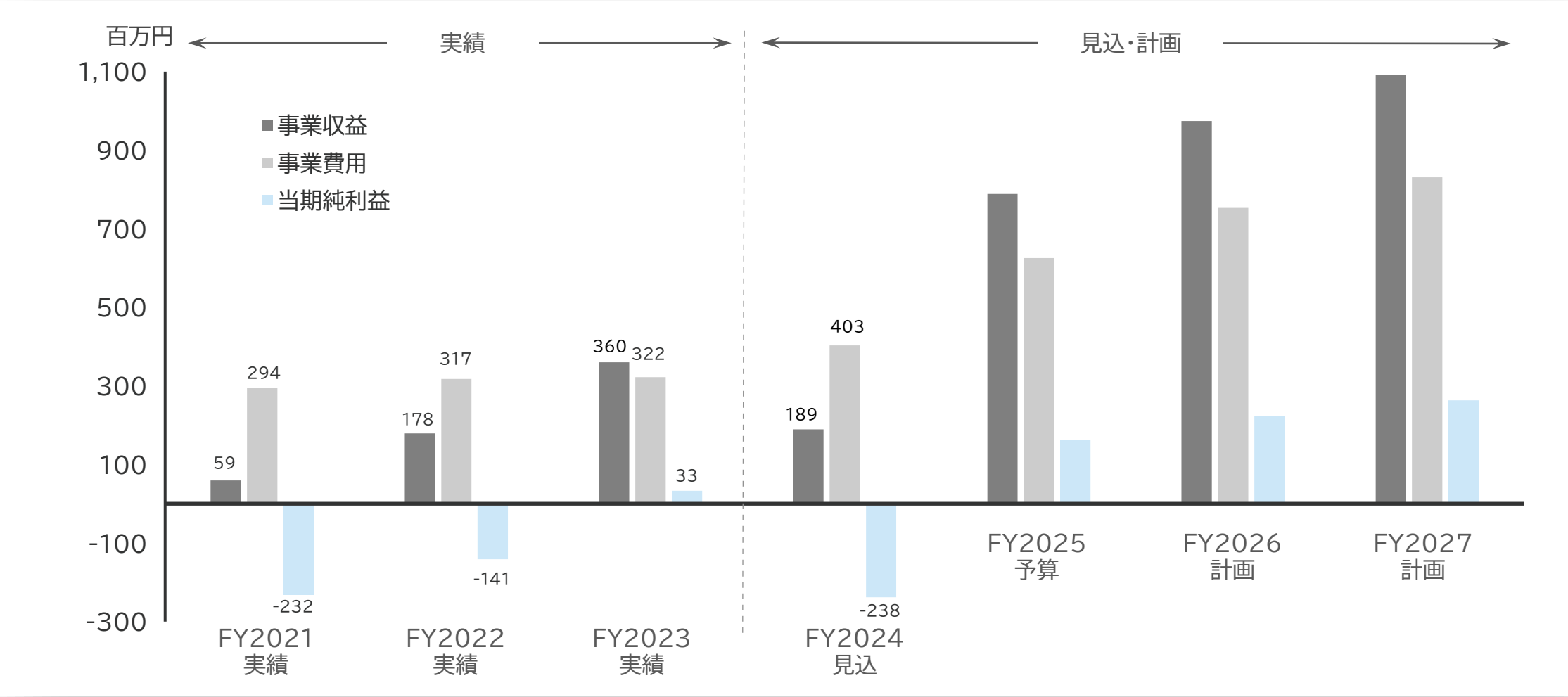
2024年度は、獲得を見込んでいた新規案件の締結が2025年度中となったことから、契約一時金等の収入が減少
2025年度以降は、各年度にて複数の新規契約を獲得するとともに、共同創薬研究を着実に進捗させ、事業収益の拡大を図る方針



(注) グラフの2025年度から2027年度は、契約締結が見込める顧客・案件別の期待収益額の積み上げをもとに作成しています。計画の数値は非開示。2025年度の予算数値は2025年2月公表予定

各年度 収支の実績及び予算/計画

2024年12月期は、人員の増強による固定費増加と自社パイプライン創出に向けた準備のための追加研究費の増加により、事業費用が前年度比で増加
2025年12月期以降の中期経営期間中、毎年新規契約2件ずつの獲得やマイルストーン等の達成により黒字回復を図る



公募で調達した資金は持続的成長の原資へ

上場会社として十分な管理部体制を構築しつつ、研究員および事業開発人員の増強により、海外展開を含めたプラットフォーム型ビジネスの拡大に対応する
その他、ハイブリッド型ビジネスへの転換に備え、自社パイプラインの創出に耐えうる研究設備や施設等の準備資金として使用する計画である



人員計画

製薬会社への変革を目指して

- 研究員・事業開発人員の増強
- 上場会社に耐えうる管理体制の増強

4.3億円



研究開発計画

自社パイプラインの創出

- 自社パイプラインの創出準備
- 2026年度に自社パイプラインの前臨床試験を開始予定
- MGCとの事業協力

3.9億円



設備投資計画

自社研究を頑強にするための設備増強・計算能力拡大

- 研究所の拡大・移転
- 計算能力・AIの増強
- 各種自動化
- KDDIとの事業協力

0.4億円



マーケティング計画

海外進出による創薬パートナーシップ拡大へ

- 海外進出
- 事業開発に直結する研究データの創出
- ODSとの事業協力

0.6億円

(注)2024年12月時点の充当状況については、具体的な充当すべき事項が発生していないため、現時点では安全資産である銀行預金で保有しております



8 事業等のリスク

Risks of Business

事業遂行上の重要なリスクと対応策

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです
その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
研究開発の不確実性に関する事項 当社はプラットフォーム型ビジネスモデルのため、研究開発の進行が自社のみではコントロールできず、提携先の方針等によって左右される点、現時点でリード化合物最適化までの創薬研究プロセスを完遂した実績がない点がリスクとして挙げられます。これらの研究開発の不確実性が当社の財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:高	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
製薬会社との共同創薬研究契約に関する事項 各パートナーにおける経営環境の変化や経営方針の変更など当社が制御し得ない要因によって当該契約が解除された場合、研究が中断・中止・遅延となった場合、相手先の事情により共同創薬研究契約が締結できなかった場合も想定され、その場合には当社の事業戦略や事業計画が変更となり、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
同業他社との競合に関する事項 当社の創薬プラットフォームは、mRNA標的的低分子創薬に必要な技術群をワンストップで提供し、特にターゲット探索に強みがありますが、競合する他社技術の発生により、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:中	当社は引き続き、新技術の開発等を通じて創薬プラットフォームの技術力強化に努めます。

事業遂行上の重要なリスクと対応策

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです
その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
知的財産権の出願・取得について 当社は事業運営上必要な特許権等の知的財産権の出願・取得を進めておりますが、現在出願中の全ての知的財産が登録査定を受けられるとは限りません。また、登録後も異議申立てや無効審判請求により、権利の一部又は全てが無効化されるなどの可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は専門分野の弁理士・弁護士と連携し、リスクの軽減に努めております。
mRNA標的低分子医薬品市場の成長可能性に関する事項 創薬標的がmRNAであることによる毒性リスクなどが顕在化したり、mRNA標的の低分子医薬品以外の有力な次世代創薬の開発等による医薬品市場におけるmRNA標的の低分子医薬品の位置づけが変化したりすることにより、想定どおりにmRNA標的の低分子医薬品市場が拡大しなかった場合や、共同創薬研究に係る提携先が想定どおりに見つからなかった場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は当該市場が引き続き成長すると見込んでおり、今後も継続的に業界動向の情報収集に努め、経営環境の変化に応じた事業運営を行う方針です。
資金繰りに関する事項 当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針ですが、適切な時期に資金調達ができない場合及び投資に比べ収益が小さい場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針です。



Appendix

用語	解説
医薬品候補化合物	医薬品候補化合物は、リード化合物を化学合成によりさらに改善したものであり、当社の創薬研究ステップの最終成果物である。医薬品候補化合物は、動物等を用いた非臨床試験にて、その有効性と安全性を国際的な基準の下で確認した後、最終的に、ヒトを対象とした試験（臨床試験）に用いられる。臨床試験の結果を規制当局に申請後、審査を経て承認されると医薬品となる。
インシリコ	インシリコ(in silico)は、生物学でいうin vivo(生体内)やin vitro(試験管内)とのアナロジーであり、「コンピュータを用いて」を意味する。すなわち、コンピュータを使った計算により、ゲノムをはじめとした生体分子の構造などを数値化し、生理的な条件を踏まえて研究することを指す。
核酸医薬品	DNAやRNAといった遺伝情報を司る物質「核酸」そのものを利用した医薬品であり、従来のタンパク質を標的とする低分子医薬品や抗体医薬品では狙えないmRNA等を創薬標的とすることができる。分子量は低分子医薬品と抗体医薬品の中間にあたり、中分子医薬品とも呼ばれる。商業製造法が確立途中であるため、製造コストは、高額と言われる抗体医薬品よりもさらに高額となる。また抗体医薬と同様に、主に注射により投与される。
研究開発	医薬品の研究開発とは、新しい医薬品を市場に投入するまれの一連のプロセスをいう。そのうち、研究(創薬研究、基礎研究)は、当社がibVIS®プラットフォームにより技術提供が可能な「ターゲット探索」「スクリーニング」「ヒット化合物検証」「リード化合物最適化」に至る医薬品候補化合物を取得するまでのプロセスであり、開発は、医薬品候補化合物取得後の非臨床試験、臨床試験に加え、承認申請及び規制当局の承認を含む非臨床試験以降の全てのプロセスである。
合成展開	低分子医薬品の創出を目的として、低分子化合物を多数合成していくことをいう。具体的には、スクリーニングでヒットした低分子化合物等を基点に、目的(活性の向上、薬物動態、毒性の低減等)に合うように新たに構造が類似した低分子化合物を多数設計し、有機化学的に合成して用意する。この新たに用意された低分子化合物に対し各種の試験を行い、より目的にかなう低分子化合物選択し、その化合物を基点として合成展開は続けられる。このサイクルは、低分子医薬として十分なプロファイルを持つ化合物が得られるまで続けられる。
抗体医薬品	体内に「抗体」を投与することで治療効果を得ようとする医薬品の総称。標的分子にピンポイントで作用させることができるため、高い治療効果と副作用の軽減が期待できる。一方、抗体医薬品は製造工程が複雑で品質の管理が難しいため、製造コストが高く、薬価が高額となる。また核酸医薬品と同様に、現在は注射によってのみ投与されている。
スクリーニング	多数の化合物群(一般的に、数万種類以上の化合物からなるライブラリー)から、特定の条件を満たす化合物を選択するための実験方法のこと。
低分子医薬品	一般的に分子量が500以下の医薬品。飲み薬や貼付薬など様々な投与方法に展開することが可能である。また製造は化学合成によるため、品質の管理が容易であり、また商業製造法が確立されているため、抗体医薬や核酸医薬品等と比べて極めて安価である。そのため最も一般的に流通し、医薬品市場の約半分を占めている。
統計力学	統計物理学ともいう。物質を構成する多数の粒子の運動に力学法則及び電磁法則と確率論とを適用し、物質の巨視的な性質を統計平均的な法則によって論じる物理学の分野。当社は、RNAの構造解析にこれら統計力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学	熱力学とは、巨視的な立場から物質の熱的性質を研究する物理学の一分野であり、系全体のマクロな性質を扱う理論である。複雑な系である生物学には当てはまらないとされることが多い。当社は、RNAの構造解析にこれら熱力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学的測定法	熱力学的測定法は、等温滴定型熱量測定 (Isothermal Titration Calorimetry; ITC)等により、結合分子を標的分子に滴下した際に起こる化学反応もしくは結合反応を観測する測定法。物質同士が結合する際には熱の発生もしくは吸収が起るため、熱量変化を観測することにより、物質同士の結合を定量的に解析することができる。
パイプライン	非臨床試験・臨床試験など開発段階にある医薬品候補化合物(新薬候補)を当社ではパイプラインと呼び、非臨床前の創薬研究段階のプロジェクトと区別している。
ヒット化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、ヒット化合物は、創薬の初期のスクリーニングで発見された活性化合物のことを示す。

用語	解説
分光学的手法	物理的観測量の強度を周波数、エネルギー、時間などの関数として示すスペクトル(測定結果の成分を、量の大小によって並べて、解析しやすくしたもの)を得ることで、対象物の定量あるいは物性を調べる研究手法である。日本語では「光」という漢字を使うが、必ずしも光を用いる測定法のみが分光学的手法ではない。
リード化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、リード化合物は、ヒット化合物の次の段階の化合物であり、ヒット化合物を基礎に化学合成により手が加えられ、その活性が動物などで確認される等、ヒット化合物より良好な物性を示す化合物のこと。さらに、活性、溶解度などの物性、毒性、飲み薬にした場合に化合物が吸収されるかなど(薬物動態)の点を化学合成によりさらに改善する基礎になる化合物。ただし、その基準は各製薬会社でさまざまである。
リボソーム	数本のRNA分子と50種類ほどのタンパク質で構成される巨大なRNAとタンパク質の複合体。大小2つの部分に分かれており、それぞれ 50Sサブユニット、30Sサブユニットと呼ばれる。あらゆる生物の細胞内に存在し、mRNAに転写された遺伝情報を読み取ってタンパク質を合成(翻訳)する機構として機能する。
量子化学	理論化学(物理化学)の一分野。主として分子や原子、あるいはそれを構成する電子などの振る舞いを、シュレディンガー方程式といった根源的な理論にもとづく数値計算によって解くことにより、分子構造や物性あるいは反応性を理論的に探究する学問分野である。
ASO	核酸医薬品のカテゴリーの一つ。mRNAに結合して主にタンパク質の合成(翻訳)を制御する働きを持つ。ASOに安定性や機能などを追加することを目的として、様々な化学的な修飾を導入することができる。
BLI	BLI(Bio-Layer Interferometry; バイオレイヤー干渉法)。熱力学的測定法の一つ。核磁気共鳴センサーチップ上に固定した生体分子と、溶液中の分子の相互作用を測定する装置。当社では、構造をとったRNAをセンサーチップ上に固定し、スクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物を流して、両者間の相互作用を測定することに使用している。高速に測定できるほか、ごく微量でも測定可能であることが特徴。
DNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子)のうち、糖の部分がデオキシリボースからなる物質であり、デオキシリボ核酸とも呼ばれる。地球上のほぼ全ての生物において遺伝情報の継承を担う生体高分子である。
ITC	ITC(Isothermal Titration Calorimetry; 等温滴定型熱量測定)。熱力学的測定法の一つ。分子同士が結合する時に発生する微小な熱量変化を計測し、相互作用解析に用いる装置。当社では、RNAとスクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物との相互作用を測定することに使用している。一般的に、得られる相互作用の数値は他の手法よりも正確だといわれるが、測定に時間がかかり、多くの試料を要するというデメリットがある。
mRNA	遺伝情報であるDNA配列を写しとって、タンパク質合成のために情報を伝達するRNA。mRNAは、細胞内でタンパク質が合成される際的设计図であり、各タンパク質に対応してそれぞれ個別のmRNAが存在する。
NCBI	NCBI(National Center for Biotechnology Information; 国立バイオテクノロジー情報センター)。米国国立衛生研究所の下の子国立医学図書館の一部門として設立された公的機関。最も信用のおける遺伝子情報等のデータが蓄積されているため、当社では、使用するmRNAの塩基配列情報を主としてNCBIデータベースより取得している。
NMR	核磁気共鳴(Nuclear Magnetic Resonance)。分光学的測定法の一つ。磁場を与えられた状態の原子核に外部から電磁波を照射し、特定の電磁波を吸収する現象(共鳴現象)を観測することで、物質の構造的情報などを取得する方法。当社では、RNAの二次構造情報の取得に加え、ヒット化合物等の低分子化合物がRNAに結合する様子や、RNAの三次元構造の解析にも使用している。
qFRET	qFRET(Quantitative Fluorescence Energy Transfer; 定量的蛍光共鳴エネルギー移動法)。当社独自の実験プロトコル、実験機器、データ解析手法を統合することにより、蛍光共鳴エネルギー移動法に定量性を持たせた研究手法。
RNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子。DNAも核酸の一種)のうち、糖の部分がリボースからなる物質であり、リボ核酸とも呼ばれる。生体内において、遺伝情報の伝達など多くの生命現象にかかわっている。遺伝情報を伝達するメッセンジャーRNA(mRNA)、タンパク質の原料であるアミノ酸を運ぶ機能を担う転移RNA(tRNA)、リボソームを構成するリボソームRNAなどに分類される。

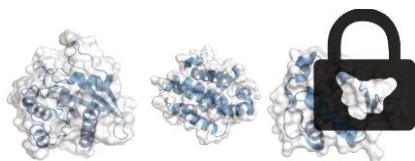
mRNAはタンパク質よりも低分子医薬品の標的が豊富

低分子創薬とは、創薬標的上に「鍵穴」を探索し、「鍵穴」にピッタリとはまる「鍵」（低分子医薬品）を見つける一連のプロセスである

タンパク質標的の低分子創薬とmRNA標的の低分子創薬は、標的がタンパク質とmRNAで全く異なるが、低分子医薬品を見つける一連のプロセスは共通している

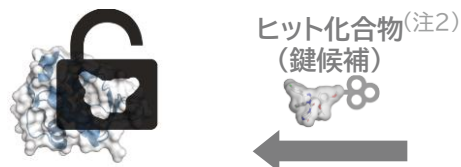
タンパク質標的創薬

ターゲット探索



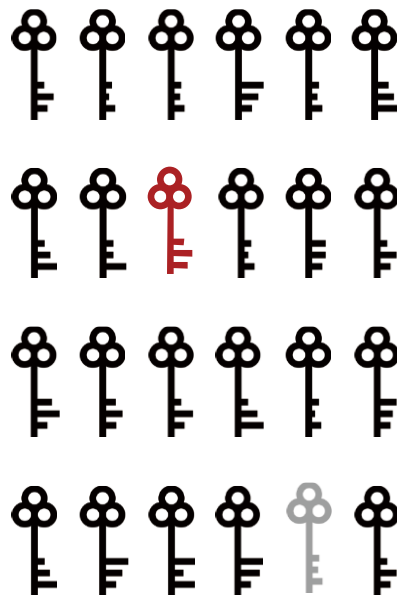
❗ **課題:**一部のタンパク質にしか「鍵穴」が存在しない(創薬標的の枯渇)

スクリーニング(注1)



ヒット化合物(注2)
(鍵候補)

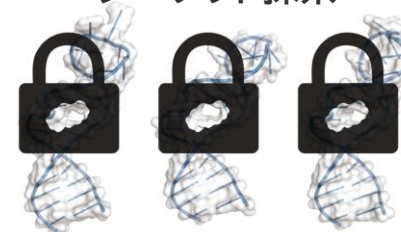
低分子化合物群



※スクリーニングに用いる化合物群を化合物ライブラリーという。

¹⁴Si mRNA標的創薬

ターゲット探索



当社の技術:コンピュータでmRNAの部分構造を計算、多くのmRNAに「鍵穴」を発見できる

スクリーニング



ヒット化合物
(鍵候補)

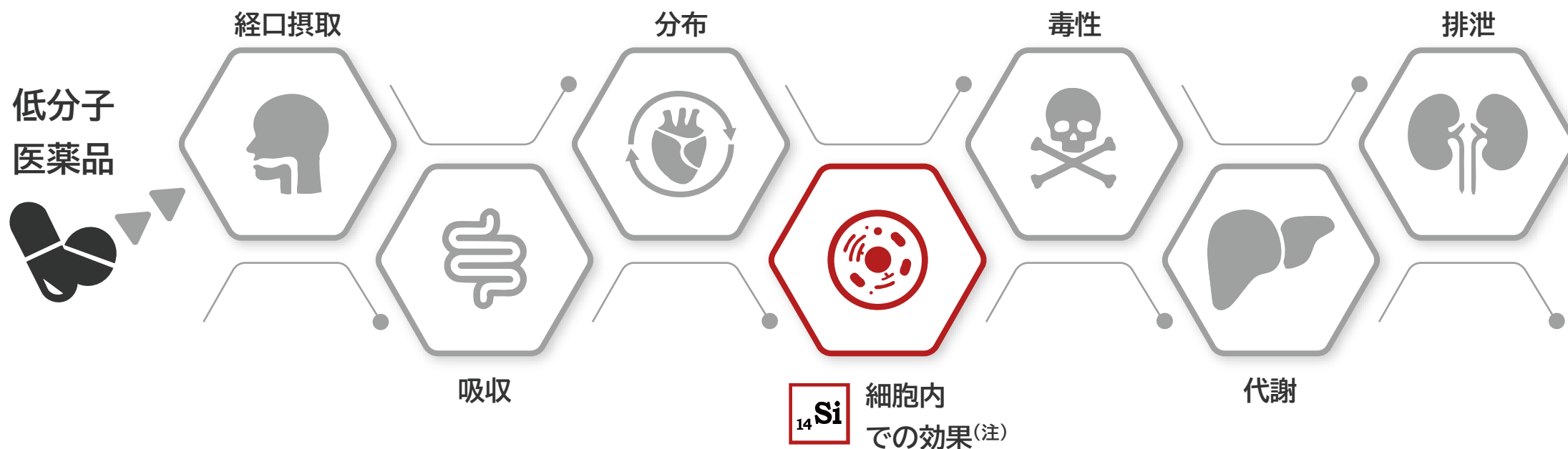
当社の技術:「鍵穴」に対する定量的スクリーニング法を構築できる

(注1) 様々な化合物の中から一定の基準を満たす化合物を選択するためのプロセス(鍵穴に対して鍵候補を見つけるプロセス)

(注2) スクリーニングで一定の基準を満たした化合物(鍵候補)

mRNA標的低分子創薬に特有の検討項目である「細胞での効果」

医薬品の研究開発では、医薬品の主作用だけでなく、吸収性、移行性、代謝や排泄、および安全性といった課題の検討が必要だが、mRNA標的低分子創薬の最終目的物はタンパク質標的の場合と同様に低分子医薬品であるため、mRNA標的低分子創薬に特有の検討項目は主作用の「細胞内での効果」のみであると考えられる



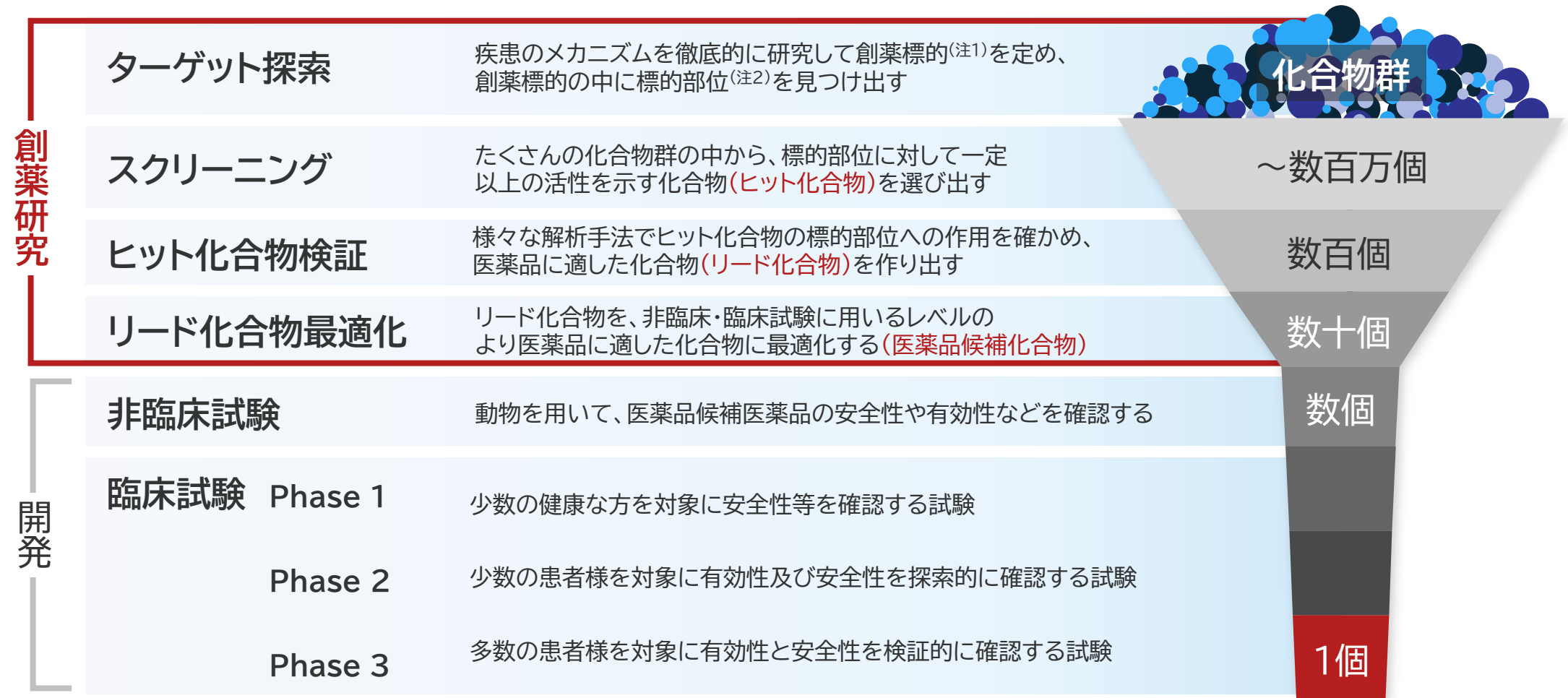
低分子創薬に固有
(共通)の部分

当社のプラットフォーム技術が必要な、
mRNA標的低分子創薬に特有の部分

(注) 当社では、自社研究と製薬会社との共同創薬研究で、
既に「細胞内での効果」を示す低分子化合物を取得している

mRNA標的低分子医薬品の創薬研究が当社の事業範囲

mRNA標的低分子創薬は、タンパク質標的低分子創薬と開発以降のプロセスは共通している。当社の技術力によりmRNA標的低分子医薬品の創薬研究を可能にすることで、一般的な医薬品の研究開発と同様に、mRNA標的低分子医薬品の研究開発を実行することができるようになる



(注1) 疾患関連タンパク質やその設計図であるmRNAなどが創薬標的となる。製薬業界では、一般的に「標的分子」と言われている
(注2) 創薬標的の決定後、医薬品で創薬標的全体のどの部位(構造)を狙うか定める必要がある。当社の場合、低分子医薬品で狙う部位(構造)のことを「ターゲット構造」と呼んでいる

将来の企業価値最大化を支える低分子医薬品の自社プロジェクト

医療ニーズの高いがん領域を中心に、将来のハイブリッド型ビジネスの基礎となる低分子医薬品の自社プロジェクトを準備している^(注1)^(注2)
ビジネスモデルを転換する際には、医薬品1品目あたり年間200億円以上の売上を見込めるプロジェクトを、自社パイプラインの候補に選定する方針である

	ターゲット探索	スクリーニング	ヒット化合物検証	リード化合物最適化
がん領域				
リンパ腫（遺伝子：c-Myc）				
前立腺がん（遺伝子：AR）				
各種がん（遺伝子：STAT3）				
各種がん				
各種がん				
各種がん				
中枢神経系				
疼痛疾患				
希少疾患系				
循環器疾患				
筋疾患				

(注1) 現時点(2024年12月初旬現在)、進捗しているプロジェクトはありません
(注2) これらのプロジェクトは、製薬会社との共同創薬プロジェクトを当社の自社プロジェクトとして譲り受けたものです
自社プロジェクトとして再開する際には、事業の自由度を確保するために、改めてスクリーニングから実施する必要があります

免責事項

本資料は、株式会社Veritas In Silico(以下「当社」といいます。)の会社情報の説明のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国その他の一切の法域における有価証券の買付け又は売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。日本国、米国その他の法域において、適用法令に基づく登録若しくは届出又はこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集又は販売を行うことはできません。

本資料の作成にあたり、当社は当社がその作成時点において入手可能な情報の真実性、正確性及び完全性に依拠し、かつ前提としており、将来情報、外部データ等については、その真実性、正確性及び完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。

将来の事業内容や業績等に関して本資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。将来予想に関する記述には、「目指す」、「予測する」、「想定する」、「確信する」、「継続する」、「試みる」、「見積もる」、「予期する」、「施策」、「意図する」、「企図する」、「可能性がある」、「計画」、「潜在的な」、「蓋然性」、「企画」、「リスク」、「追求する」、「はずである」、「努力する」、「目標とする」、「予定である」又は将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他の類似した表現を含みます。将来予想に関する記述は、本資料作成時点において入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいて作成しており、これらの記述の中には、様々なリスクや不確定要素が内在します。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の将来における事業内容や業績等が、将来に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なることとなる可能性があります。したがって、将来予想に関する記述に依拠することのないようご注意ください。

なお本資料は原則として、期末決算発表の時期を目途に毎年更新し、開示する予定です。

お問合せ先：
株式会社 Veritas In Silico
管理部 広報IR担当
ir@veritasinsilico.com



Veritas In Silico