



**Veritas In Silico**

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs

# 2025年12月期第2四半期 決算説明資料

株式会社Veritas In Silico

証券コード: 130A

2025年8月4日



## 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。

## 2025年12月期 第2四半期ハイライト

### プラットフォーム事業

- ・ 新規契約締結の交渉を継続中
- ・ 塩野義とのマイルストーン達成など製薬会社とのmRNA標的 low molecular weight 創薬研究が進捗

### パイプライン事業

- ・ 核酸医薬の自社パイプライン1本目の対象疾患を急性腎不全に決定
- ・ 三菱ガス化学とのQbD<sup>(注)</sup>の考え方を取り入れた核酸医薬の創出及び製造方法確立を目的とした共同研究を開始

(注) 製品設計時から製造した際に品質を担保できることを考慮に入れるという考え方

第2四半期累計の事業収益は43百万円、事業費用は229百万円、  
半期純損失は184百万円

### 2025年12月期の業績予想は変更なし

※ 本資料作成日時点において、2025年4月に米国政府が打ち出した関税措置による、  
当社の事業活動、経営成績および財政状態に対する特段の影響はないと判断している。



# Contents

- 1 事業概要
- 2 ビジネスモデル
- 3 事業ハイライト
- 4 財務ハイライト
- 5 成長戦略



# 1 事業概要

Business Overview



# 創薬プラットフォームibVIS<sup>®</sup>がもたらす事業面および技術面での優位性

## mRNA標的低分子創薬と核酸医薬創薬の二刀流による安定した事業運営

当社の創薬プラットフォームibVIS<sup>®</sup>の高い技術力を活かし、大きな市場を形成できる低分子医薬品と、今後の成長が期待される核酸医薬品に取り組み、安定した事業運営を実現する。

## 治療“できない”を“できる”にするmRNA標的低分子創薬

塩野義製薬との共同創薬研究において、特異的な作用を示す化合物の取得に成功するなど、従来のタンパク質標的の低分子創薬では実現できなかった成果が得られた。  
当社のibVIS<sup>®</sup>が、アンメット・メディカル・ニーズ<sup>(注1)</sup>に挑む製薬各社の試みに具体的な解決策になる。

(注1) 有効な治療方法がない疾患に対する医療ニーズ

## 三菱ガス化学と推進するQbD<sup>(注2)</sup>を取り入れた核酸医薬創薬

当社創業初期からの大株主である三菱ガス化学と共同研究契約を締結した。  
研究初期段階からQbD(Quality by Design)<sup>(注2)</sup>の考え方を取り入れるなど、医薬品の製造の最適化を図る。  
この医薬品業界において先進的な取り組みにより、核酸医薬品の分野をリードする。

(注2) 製品設計時から製造した際に品質を担保できることを考慮に入れるという考え方

## 会社概要

# 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  | 新川崎研究所:神奈川県川崎市<br>新潟研究所:新潟県新潟市                                                                                                      |
| 代表者  | 代表取締役社長 中村 慎吾                                                                                                                       |
| 従業員数 | 20名(2025年6月末現在)                                                                                                                     |
| 事業内容 | 独自の創薬プラットフォーム ibVIS <sup>®</sup> により、製薬会社と共同創薬研究を通じて、mRNA標的 low molecular weight 医薬品の創出に取り組む。<br>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)

# プラットフォーム事業の成長の軌跡とパイプライン事業の新展開

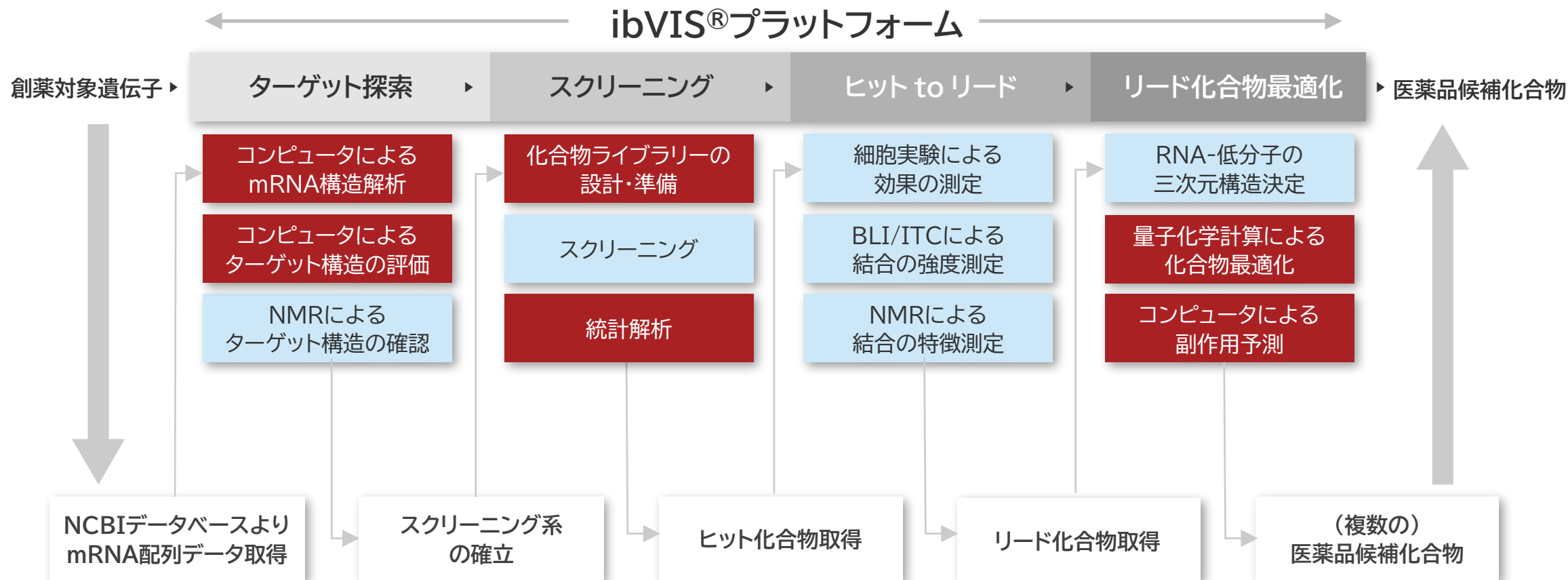
プラットフォーム事業の拡大と並行して、2017年以来自社研究を進めてきた核酸医薬などのパイプライン事業を開始した。





# ibVIS<sup>®</sup>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

当社の創薬プラットフォームibVIS<sup>®</sup>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。



(注) 共同創薬研究において製薬会社は、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

中村は当社設立後、科学者としての経験、各種業界でのビジネス経験を最大限活用してmRNA標的の低分子創薬の事業を実現。



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。



2000年

## ～2003 科学者としての経歴

- ・ 名古屋大学にて**情報工学**を学び、**有機化学**で博士号を取得
- ・ 米国エール大学で博士研究員として、**RNA生物学**を研究
- ・ mRNA標的の低分子創薬の概念は、これら科学的背景をもとに発想

2005年

## 2003-2011 製薬業界での経歴

- ・ 武田薬品にてmRNA標的の低分子創薬の社内プロジェクトを7年間主導
- ・ **世界初のmRNA標的の低分子創薬のビジネスモデル特許を2004年に出願**

2010年

## 2011-2015 ビジネスの経歴

- ・ 米国Dow Chemical の営業部マネジャー
- ・ Catalent社<sup>(注)</sup>の事業開発ディレクター

2015年

## 2015-2017 投資家としての経歴

- ・ 産業革新機構にてベンチャーキャピタリストとして投資業務に従事
  - ・ 投資先バイオテック企業の取締役業務に従事
- これら業務を通じて、会社設立と会社経営の実務経験を積む

## 2016～ 経営者としての経歴

- ・ Veritas In Silico設立。代表取締役社長に就任(現職)

(注) 米国・ニュージャージー州に本社を置き、製薬会社及びバイオテック企業向けにデリバリー技術、医薬品製造、生物製剤、遺伝子治療薬、消費者向け健康製品を提供するグローバル医薬品受託製造会社(CDMO)

## 執行役員体制による組織的・効率的な業務運営

組織的・効率的な意思決定を図るため執行役員会を設置し、製薬・バイオ業界や証券・財務分野に精通した経営陣が連携。



取締役執行役員・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。



取締役執行役員・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Merck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

九州大学にて教員を勤めた後、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。



執行役員・経営企画部長  
郷田 恒雄

SMBC日興証券などでIPO業務に20年以上従事の後、事業会社でIPO及び上場後のIRを主導した実務経験を有する。



執行役員・研究戦略部長  
笹川 達也 PhD

アステラス製薬で10年以上研究開発に従事し、再生医療ベンチャーなど複数の企業で事業開発およびプロジェクトマネジメントに従事した経験を有する。

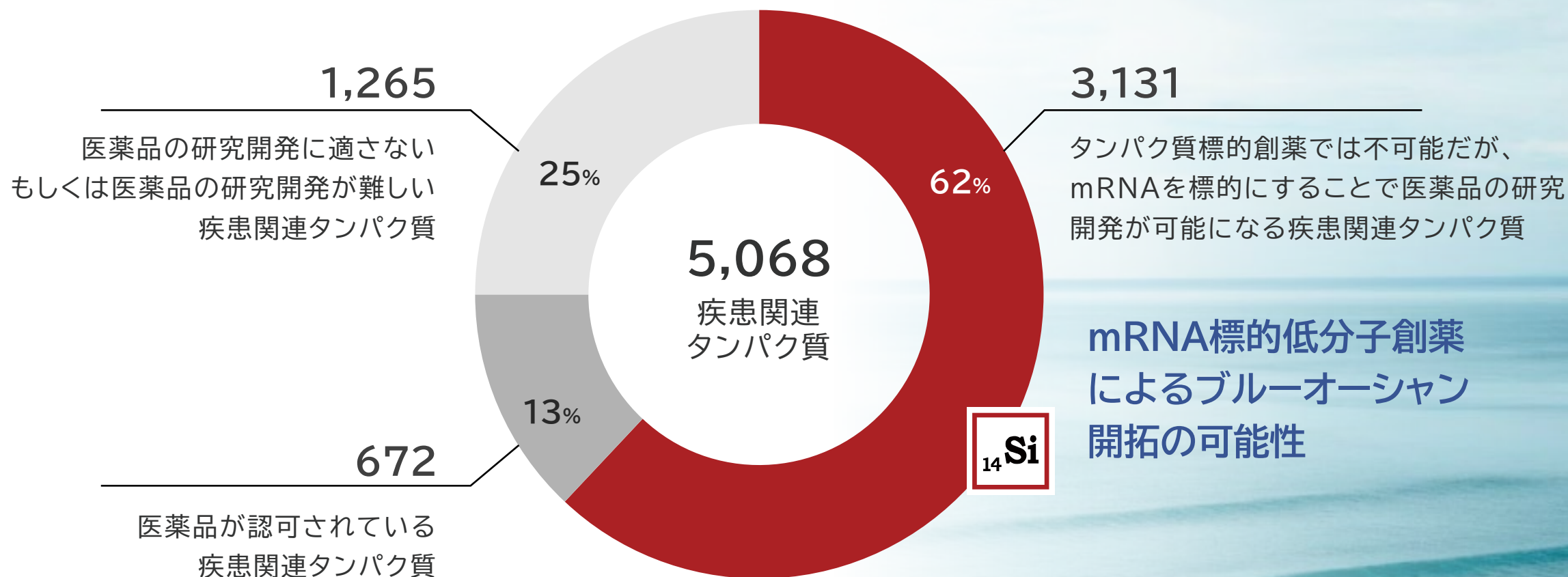


CSO  
森下 えら PhD

RNA標的医薬品の研究に20年以上従事し、東京大学と理化学研究所で分子生物学とRNA構造の研究経験を有する。

## 治療“できない”を“できる”にするmRNA標的創薬

タンパク質を標的とした創薬技術では“Undruggable(創薬不可能)”な疾患もmRNAを標的とすることで“Druggable(創薬可能)”に。疾患関連タンパク質の半数以上を占めるアンメット・メディカル・ニーズ(未だ満たされない医療ニーズ)にこたえていける可能性がある。



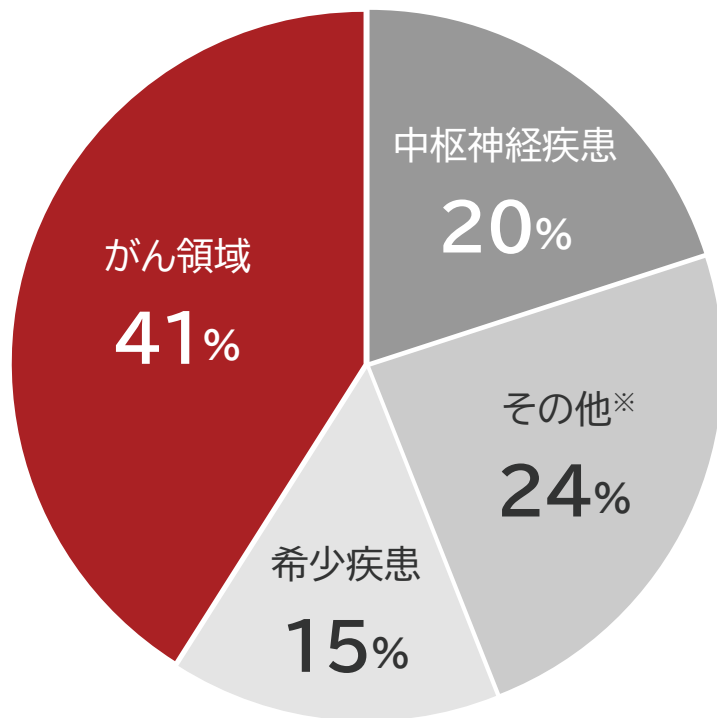
出典: The Human Protein Atlas, DrugBank, KS analysis, 2018 をもとに当社にて作成



## 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

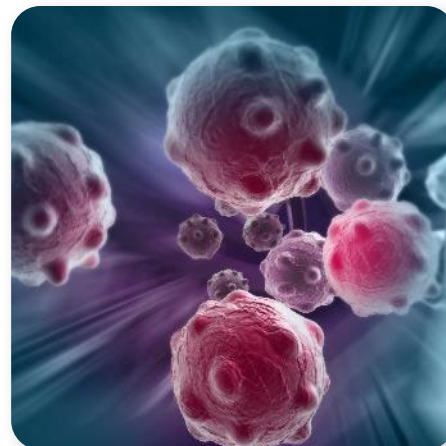
当社の創薬プラットフォームibVIS®を紹介した製薬会社から開示された創薬対象遺伝子は100以上で、疾患領域は多種多様である。創薬の専門家から見ても、ibVIS®は様々な疾患に適用可能であることを示唆。特にがん領域への期待が大きく、中枢神経疾患がそれに続く。

創薬対象遺伝子からわかる疾患領域<sup>(注)</sup>



※ 循環器疾患、免疫疾患、感染症などを含む。

(注) 2025年6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

従来のタンパク質標的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。

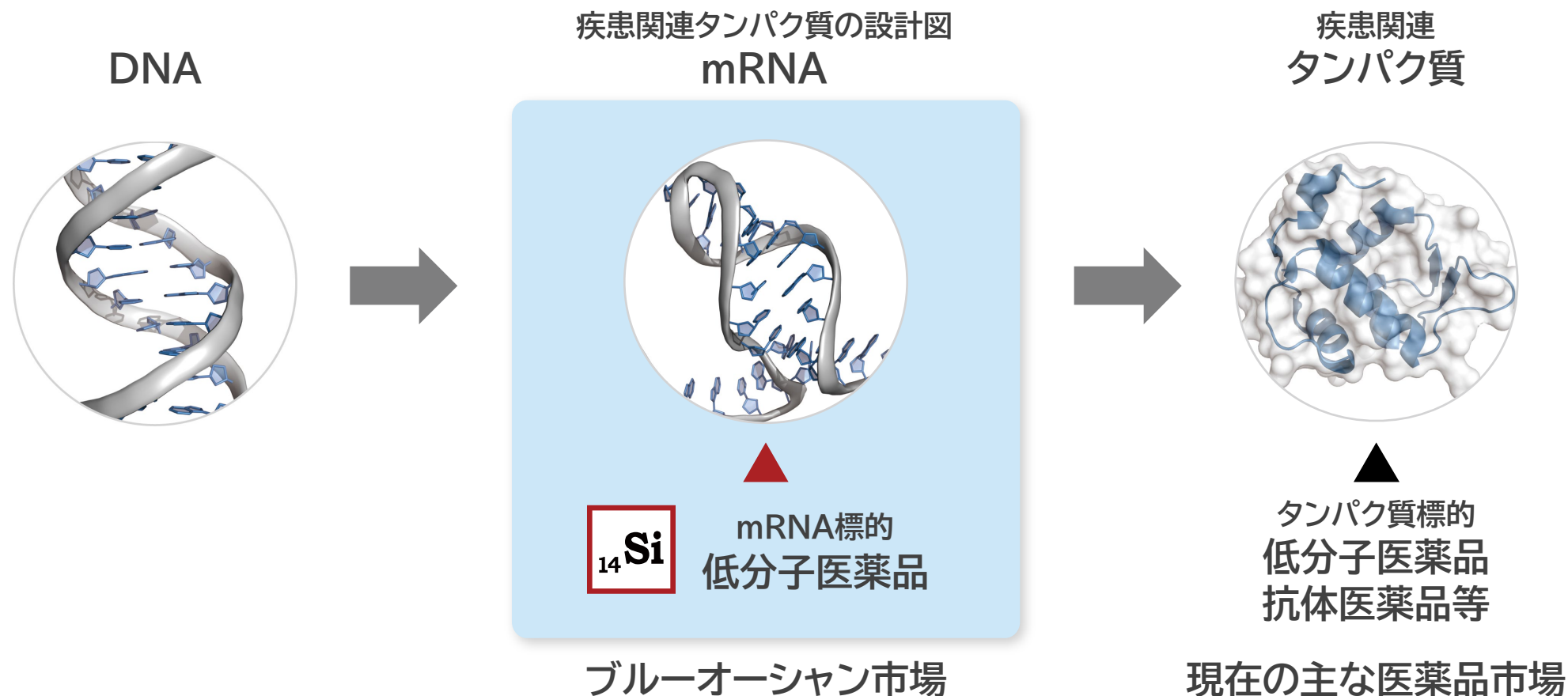


### 中枢神経疾患

脳(中枢神経)では、血液脳関門(BBB)により抗体医薬品等がブロックされてしまうため、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である。

## 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。mRNAを創薬標的とすることで低分子創薬の課題が解決されるため、将来的に新たな市場(ブルーオーシャン)を開拓する。

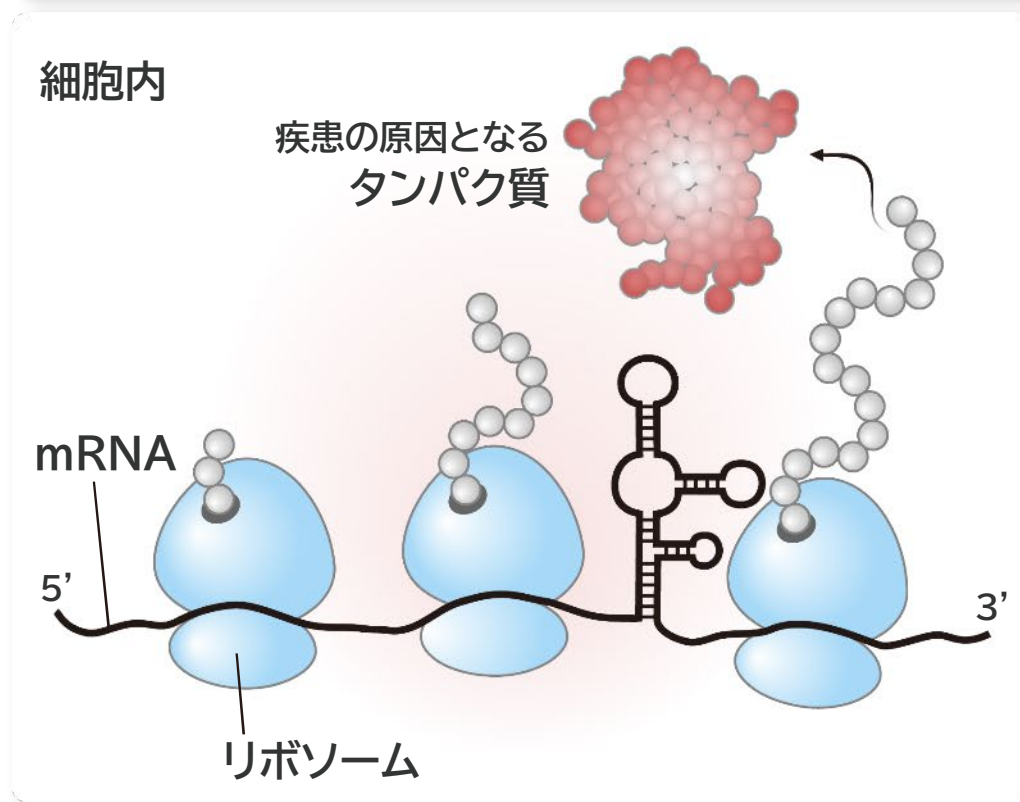


(注) mRNA標的 low molecular weight 医薬品の研究開発は世界的に見てもほとんどが研究段階であり、本創薬で上市された低分子医薬品は存在しない。(2025年6月末現在)

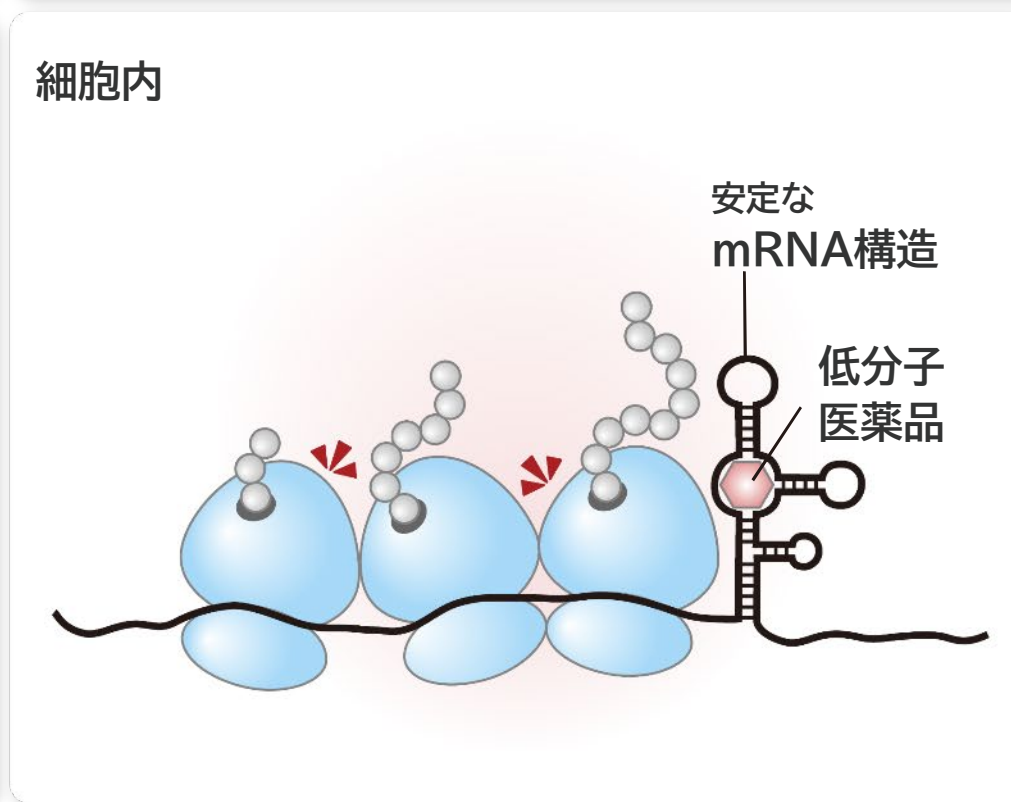
## さまざまな疾患の治療に適用できる汎用性のある作用メカニズム

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の情報を読み進められずタンパク質の合成はストップする。

低分子医薬品なし

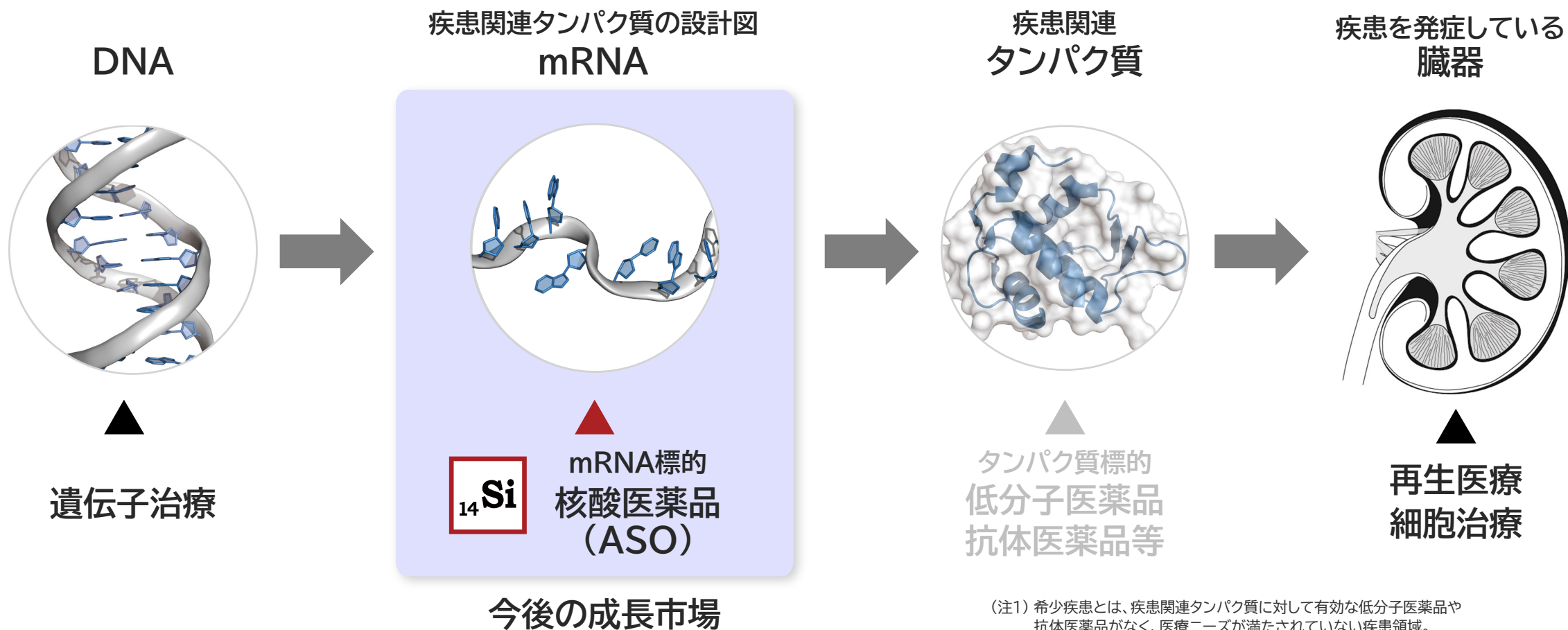


低分子医薬品あり



## 希少疾患に有効で成長性を見込める核酸医薬品市場

疾患を発症している臓器を直接対象とした大がかりな再生医療・細胞治療とは異なり、核酸医薬品は比較的短期間で研究開発が可能な点が特徴。そのため、希少疾患<sup>(注1)</sup>の治療において、核酸医薬品<sup>(注2)</sup>は有力な選択肢として期待されている。



(注1) 希少疾患とは、疾患関連タンパク質に対して有効な低分子医薬品や抗体医薬品がなく、医療ニーズが満たされていない疾患領域。

(注2) 各種核酸医薬品の中で、当社はアンチセンスオリゴヌクレオチド(ASO)に取り組む。

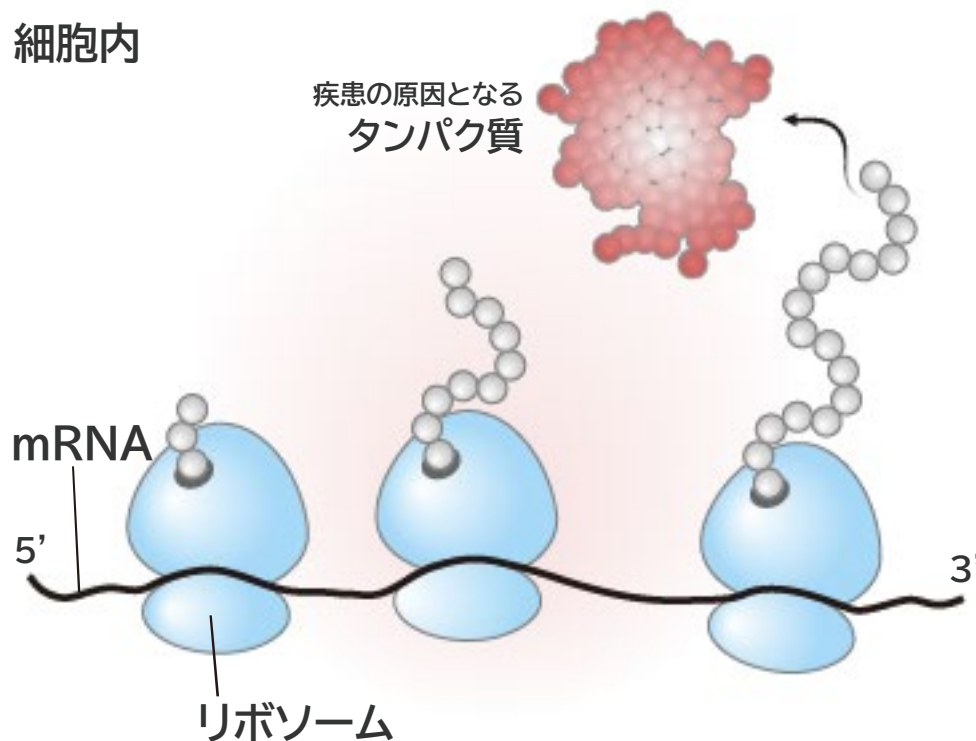


## さまざまな疾患の治療に適用できる汎用性のある作用メカニズム

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。核酸医薬品(ASO)は、標的mRNAに結合してRNase Hを誘導し、mRNAを分解させることでタンパク質の合成を阻害する。

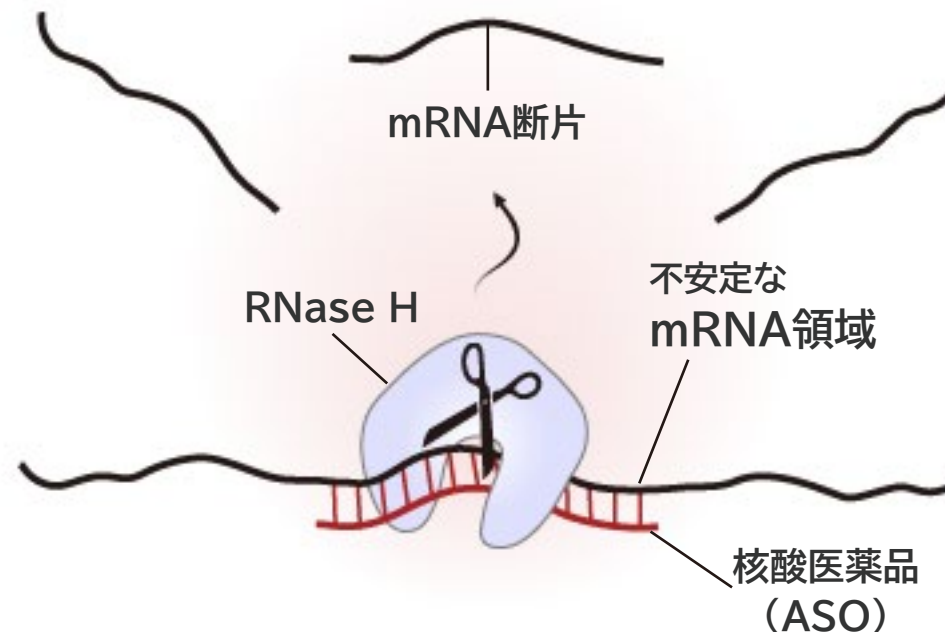
### 核酸医薬品なし

細胞内



### 核酸医薬品あり

細胞内



※RNase H: mRNAを分解する酵素

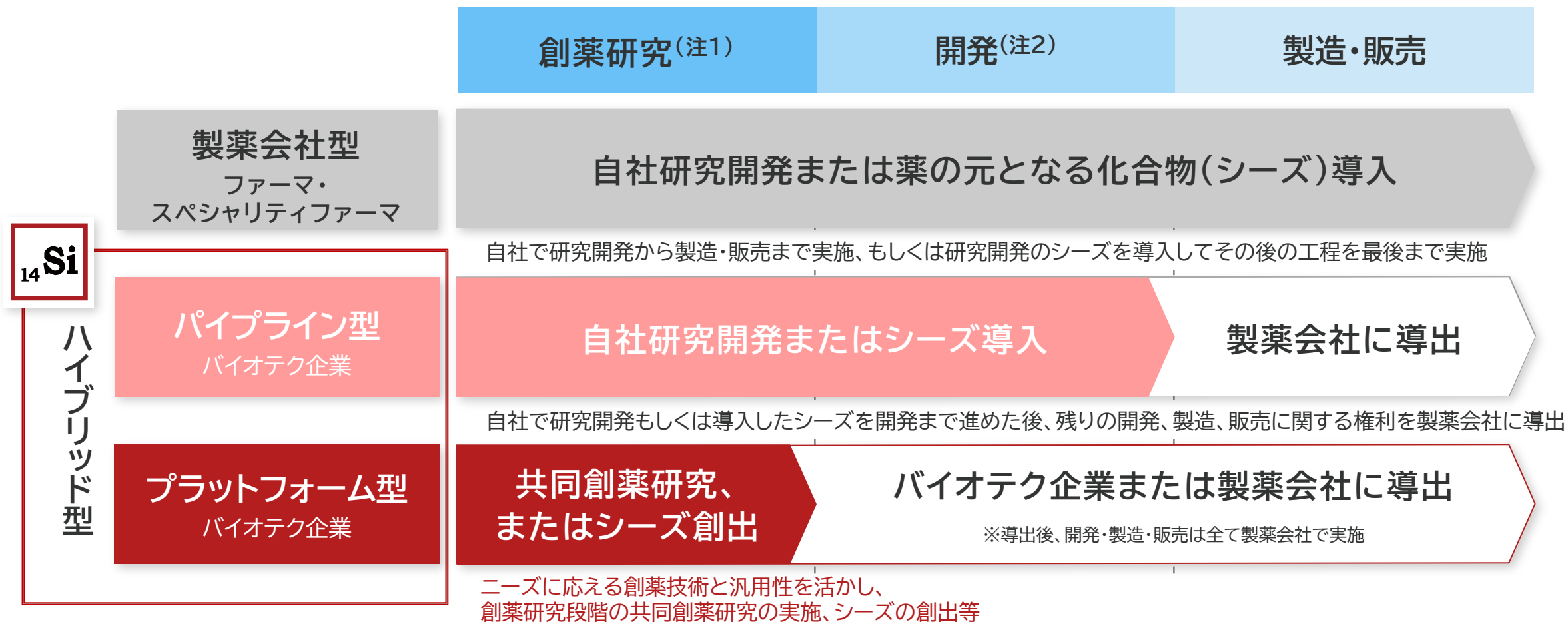


## 2 ビジネスモデル

Business Model

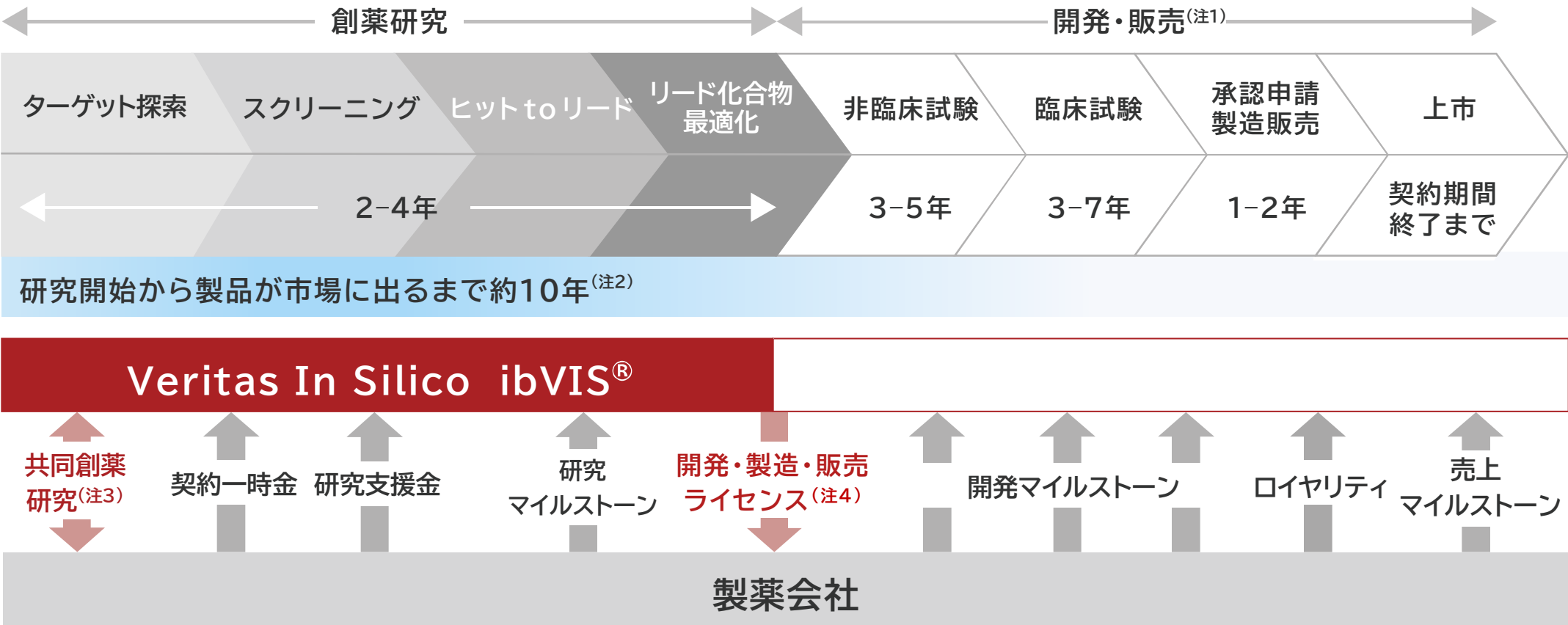
# プラットフォーム型ビジネスからハイブリッド型ビジネスへ

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を展開している。  
プラットフォーム型ビジネスで培った技術力を活かし、自社でもパイプラインを創出するハイブリッド型ビジネスを開始した。



# 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。このプラットフォーム型契約の締結により、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た収益が得られる。



(注1) 現時点(2025年6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ない。  
(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る。  
(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る。  
(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、基本的に共同創薬研究契約の締結時に盛り込まれる。



# 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

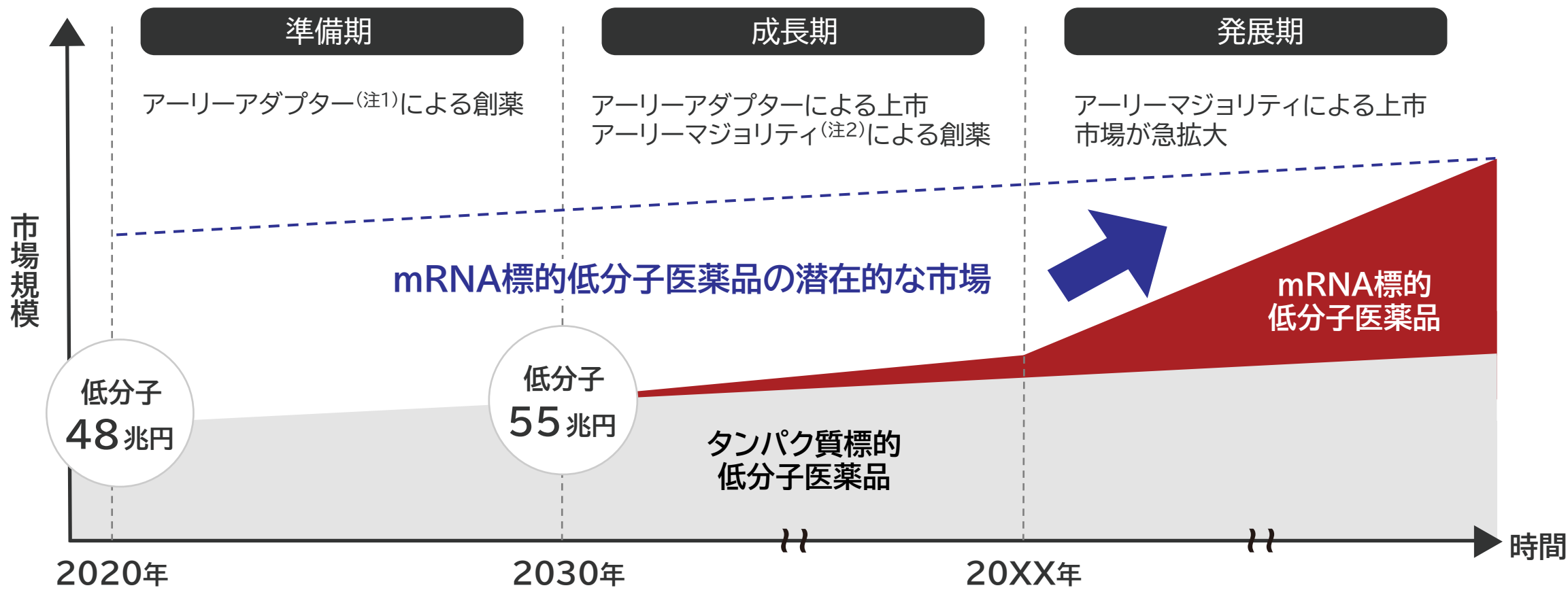
プラットフォーム型ビジネスでは、製薬会社4社とのmRNA標的的低分子創薬事業が進捗した。

| 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                                                                                                  |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------|-----------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <br>Innovation by Chemistry                      | 2021年7月  | 非開示             |  <p>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「リード化合物創出」の段階</p> | <ul style="list-style-type: none"><li>・ 契約金非開示</li><li>・ VIS化合物持分あり<sup>(注)</sup></li></ul>           |
|  SHIONOGI                                        | 2021年11月 | 感染症<br>精神・神経系疾患 |                                                                                                                                      | <ul style="list-style-type: none"><li>・ 契約金最大850億円</li><li>・ ロイヤリティあり</li><li>・ Q2マイルストーン達成</li></ul> |
|  RaQualia<br><small>innovators for life</small> | 2022年12月 | がん領域            |                                                                                                                                      | <ul style="list-style-type: none"><li>・ 契約金非開示</li><li>・ ロイヤリティあり</li><li>・ 対象遺伝子の拡大</li></ul>        |
|  Takeda                                        | 2023年6月  | 非開示             |                                                                                                                                      | <ul style="list-style-type: none"><li>・ 契約金非開示</li><li>・ ロイヤリティあり</li></ul>                           |

(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。

## 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。本創薬により低分子医薬品が上市されれば、“Undruggable”だった疾患に一気に広まるため(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)。



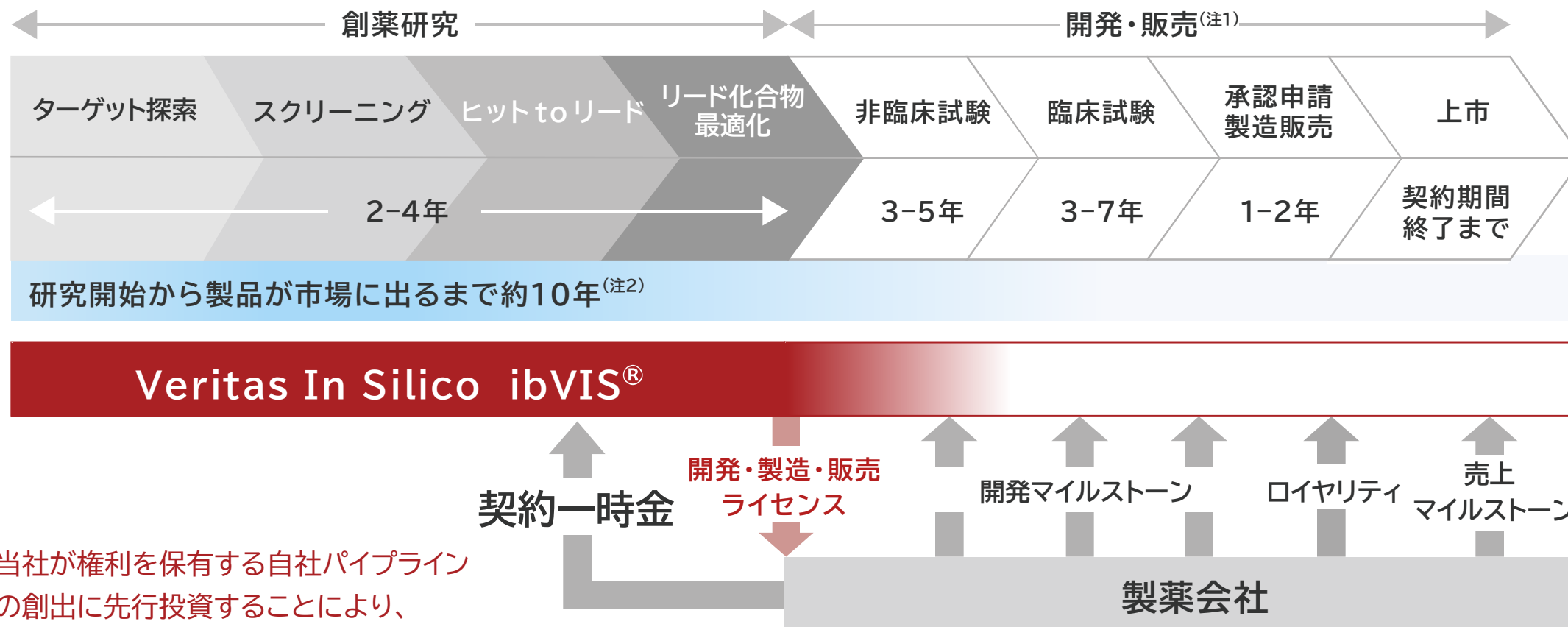
(注1) 初期採用者とも呼ばれ、イノベーター(革新者)の次に商品やサービスを購入する人々  
(注2) 前期追随者とも呼ばれ、アーリーアダプターからの影響を受ける人々

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

## 導出時に大きな収益を生む将来価値の高い医薬品候補の創出

将来価値が非常に高く、当社の現在の株主価値の向上に資する医薬品候補(パイプライン)を自社でいち早く創出する。  
導出時には、開発マイルストーン、ロイヤリティ、売上マイルストーンの受領に関する契約条件を設定するとともに、大型の契約一時金を受領する。

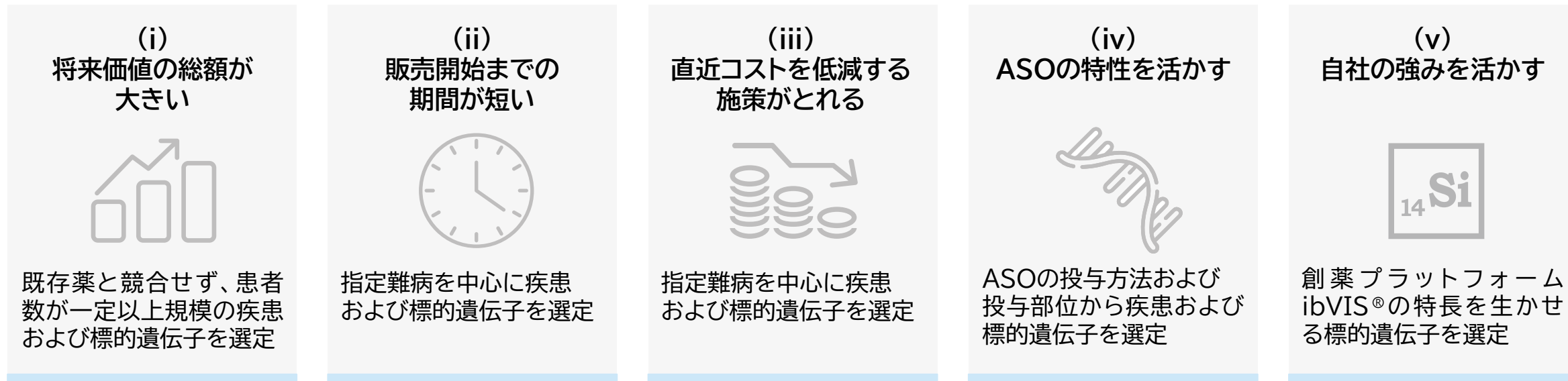


(注1) 現時点(2025年6月末現在)、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績はない。

(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る。

## 核酸医薬のパイプライン選定・構築に向けた方針

パイプライン創出に向けた遺伝子候補の社内検討において、特に市場性を重視することで株主価値に資する現在価値の高いもの(i)(ii)(iii)、加えて、核酸医薬品(ASO)の特性(iv)と当社の技術の強み(v)を活かせるものを選定する方針。



1年目

### 候補選定・創薬研究

最初の標的遺伝子選定後、パイプライン創出に向けた創薬研究実施

2年目

### 非臨床試験開始

細胞を用いた試験により薬効などを確認

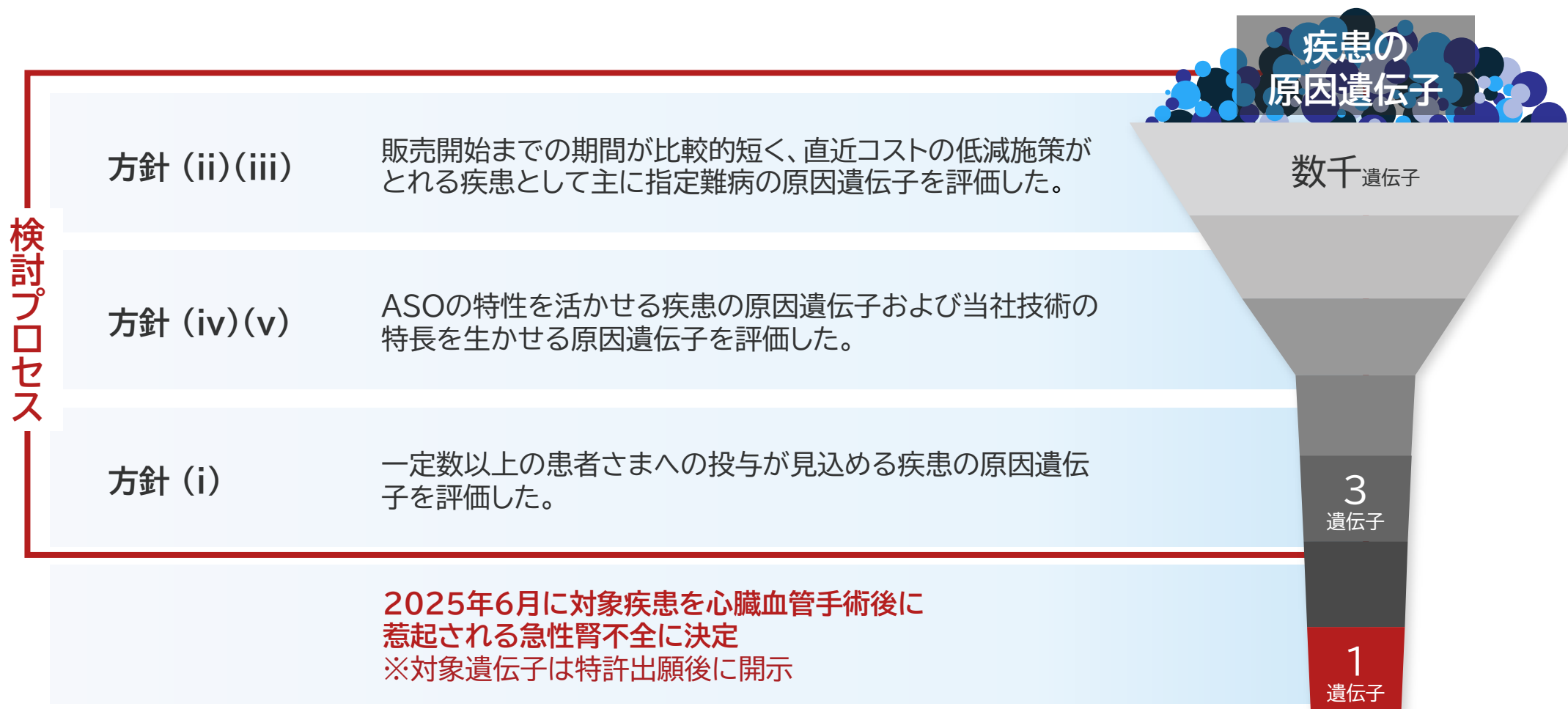
3年目

### 非臨床試験対応

動物を用いた試験により薬効などを確認

## 核酸医薬パイプラインの対象疾患および遺伝子の選定

疾患の原因となる遺伝子(原因遺伝子)の中から、当社のパイプライン選定・構築の方針(i)～(v)に基づき、対象疾患および遺伝子を選定。対象疾患は心臓血管手術後に惹起される急性腎不全とし、第3四半期よりパイプライン創出のための創薬研究を開始した。





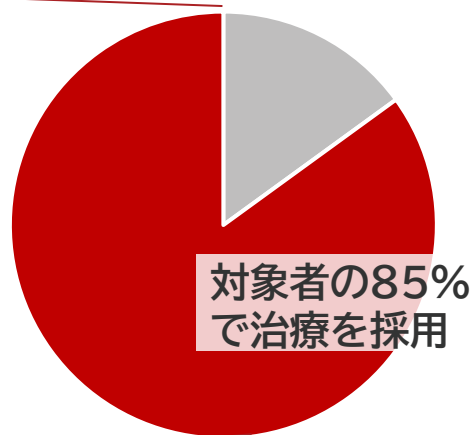
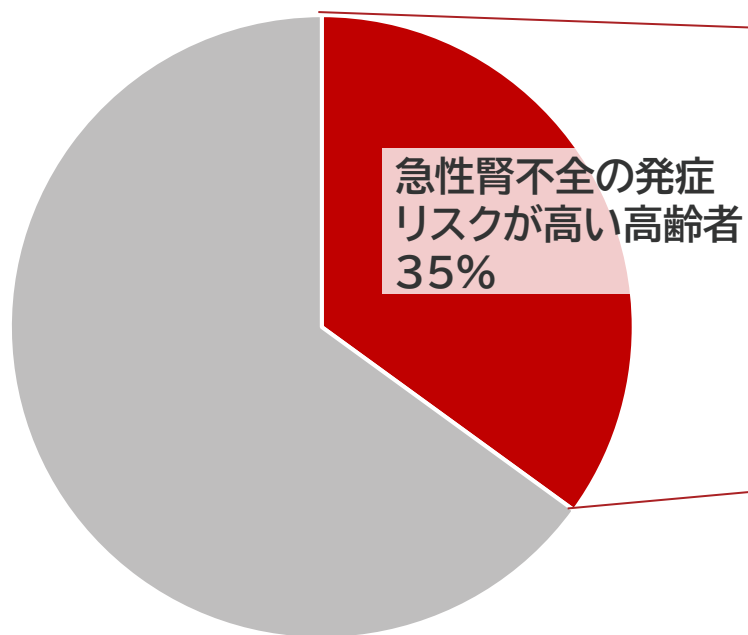
## 心臓血管手術後に惹起される急性腎不全への予防薬としての核酸医薬

対象疾患である虚血性急性腎不全は、心臓血管手術時の血流低下(虚血)により腎臓が損傷を受ける疾患。

現在有効な予防法は存在しておらず、本治療法の開発により発症を防ぐことができれば、患者さまのQOL向上に大きく貢献できる。

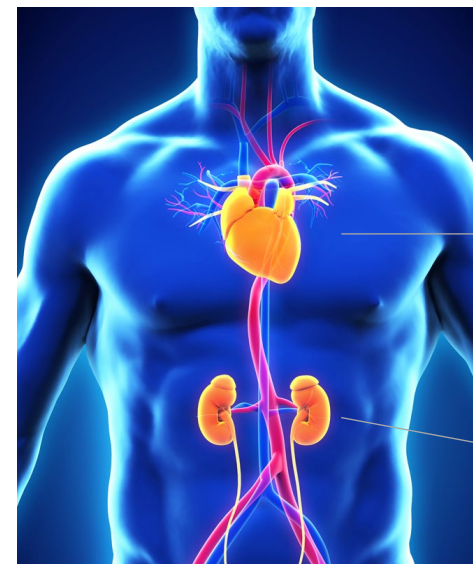
日本国内における心臓血管手術  
約 50,000件/年

日本国内における予防対象  
約 14,900件/年



ピーク時売りあげ  
年間売上約150億円

※薬価100万円を想定



心臓の血管手術では、  
一時的に血流を止めるため、  
虚血により臓器が損傷する。

虚血の影響を受けやすい  
腎臓が損傷し、  
急性腎不全を引き起こす。

将来的には、さらなる売り上げ拡大を目指す

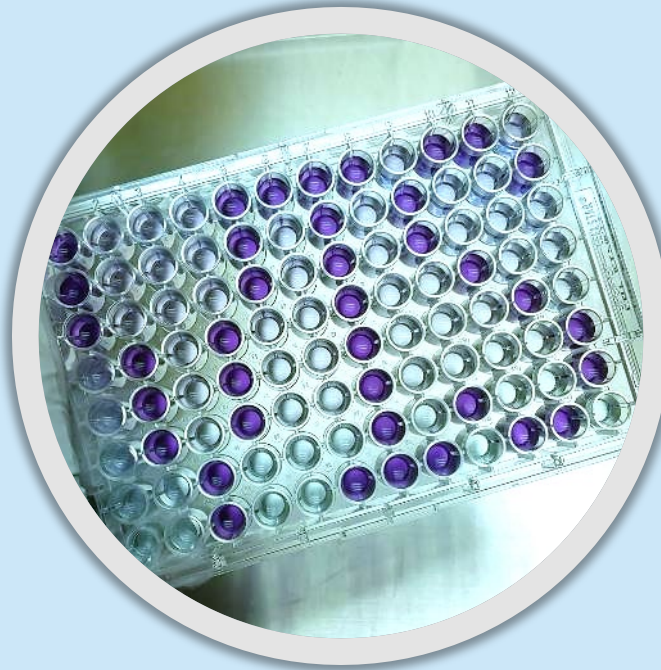
- 1) 国外展開の推進
- 2) 発症リスクが高いご高齢の患者さま以外への提供
- 3) その他の虚血性疾患に対する適応拡大

# 現行の中期経営期間中のパイプライン候補：核酸医薬品

当社では、最短8か月で核酸医薬品を創出する技術を有している。  
 希少疾患を中心に、2025年から2027年の自社パイプラインの候補となりえる核酸医薬品のプロジェクトを複数保有している。

|                                      | ターゲット探索 | スクリーニング | ヒット to リード | リード化合物最適化 |
|--------------------------------------|---------|---------|------------|-----------|
| 核酸医薬品                                |         |         |            |           |
| 急性腎不全 <sup>(注)</sup><br>※自社パイプライン1本目 |         |         |            |           |
| 筋萎縮性側索硬化症(ALS)<br>w/ 慈恵会医科大学         |         |         |            |           |
| 筋萎縮性側索硬化症(ALS)<br>w/ 慈恵会医科大学         |         |         |            |           |
| 未公表a                                 |         |         |            |           |
| 未公表b<br>w/ 三菱ガス化学                    |         |         |            |           |

(注) 特許6934695号 核酸医薬とその使用



# 3 事業ハイライト

Business Highlights

# 2025年12月期 上期(1~6月)の事業進捗

## KPI項目

### 三菱ガス化学との 共同研究契約を締結

核酸医薬の創出及び製造方法確立を  
目的とする共同研究の実施について  
合意 →詳細はスライドP.30

## KPI項目

### mRNA標的核酸医薬 自社パイプラインの対象疾患決定

当社で最初の自社パイプラインとして、  
対象疾患を心臓血管手術後に惹起され  
る虚血性の急性腎不全とした核酸医薬  
のプロジェクトを開始  
→詳細はスライドP.25-26

## KPI項目達成

### 塩野義製薬との共同創薬研究 にてマイルストーン達成

mRNA標的低分子創薬の共同研究に  
て、特異的な作用を示す高活性の化  
合物取得を、塩野義製薬の高い基準  
にて実現 →詳細はスライドP.31

### ラクオリア創薬との共同創薬研究 にて対象遺伝子の研究範囲拡大

複数の遺伝子を対象に複数回のスク  
リーニングを行い、それぞれの遺伝  
子に対して創薬研究の起点となる低  
分子化合物を取得

### 新規特許の出願

将来の事業基盤となり当社の株主価値  
を向上させる可能性のある特許を複数  
出願

### 国際学会の招待講演に CSOが登壇



20th Annual Drug Discovery Chemistry  
(米国カリフォルニア州 San Diego)にて

### 国際学会にて 新川崎研究所長が発表

### 新川崎研究所 研究員2名増員



新メンバーを迎えた新川崎研究所の研究員たち

# 三菱ガス化学との核酸医薬の創出・製造方法確立をめざした共同研究開始

プレスリリース [https://www.veritasinsilico.com/pressrelease/20250703\\_3825/](https://www.veritasinsilico.com/pressrelease/20250703_3825/)



|        |                                                       |
|--------|-------------------------------------------------------|
| 目的     | RNAを標的とした核酸医薬(ASO)の創出と製造方法の確立                         |
| 共同研究期間 | 3年間                                                   |
| 技術基盤   | Veritas In Silicoの創薬プラットフォーム「ibVIS <sup>®</sup> 」を活用  |
| 役割     | VIS: ASO化合物の取得<br>三菱ガス化学: 製造方法の確立                     |
| 特徴     | QbD(Quality by Design)を創薬研究の初期段階から導入し、迅速な臨床試験への移行を目指す |



製造後の核酸医薬品のイメージ

- VISにとって初の核酸医薬創薬の事業化
- 2025年度のKPIとして設定している「新規契約4件獲得」の2件目達成
- 開発候補ASO化合物を取得できた場合、VISのパイプライン2本目創出となる

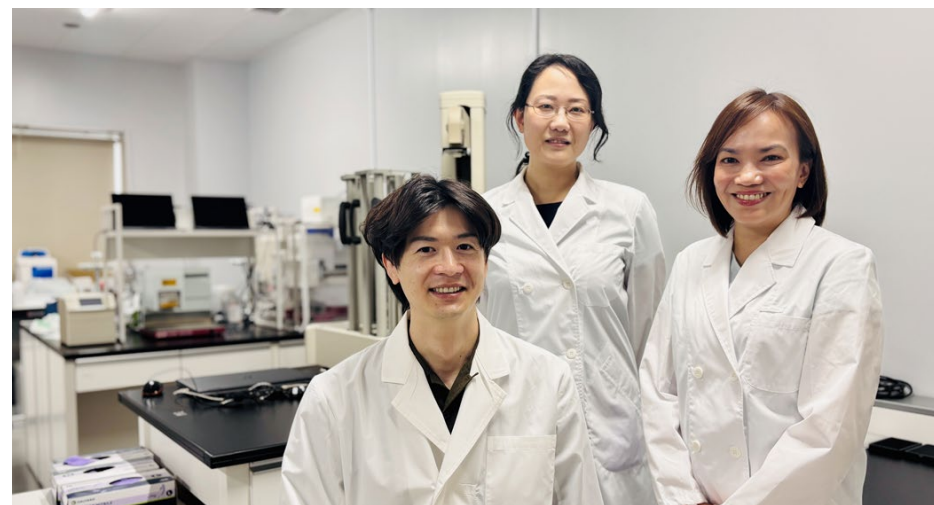


# 塩野義製薬との共同研究にてリード化合物につながる化合物取得に成功

プレスリリース [https://www.veritasinsilico.com/pressrelease/20250523\\_3680/](https://www.veritasinsilico.com/pressrelease/20250523_3680/)



創薬研究進行段階



本件共同創薬研究の中心メンバー

- タンパク質標的では困難だった特異的な作用を示す高活性の化合物取得を、塩野義製薬の高い基準で実現した。
- 未知のmRNAに対して、当社の技術で独自に発見したmRNA上の構造を創薬対象として画期的な成果が得られた。
- 当社の創薬プラットフォームibVIS®により、「mRNAを標的とした低分子医薬品」が一層実現に近づいた。

# ハイブリッド型ビジネスの収益ポテンシャル

プラットフォーム事業およびパイプライン事業の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。医薬品の上市後には、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)を見込む。

契約一時金・研究支援金・  
研究マイルストーン



- 取得済収益 (～2025年6月)
- 短期的収益 (創薬研究期間中に受領可能性)

開発マイルストーン



- 中期的収益 (開発期間中に受領可能性)
- 長期的収益 (販売期間中に受領可能性)

売上マイルストーン



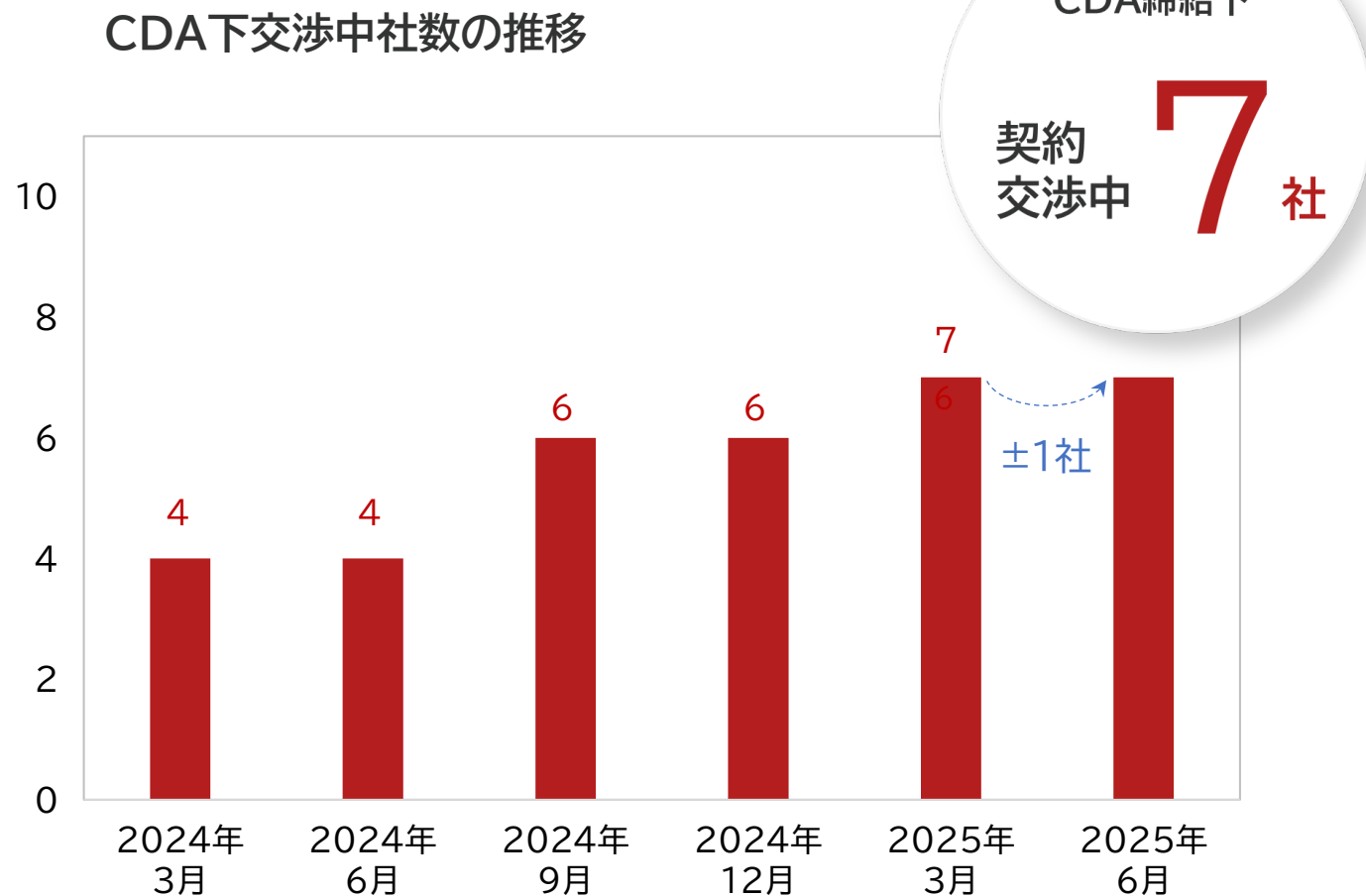
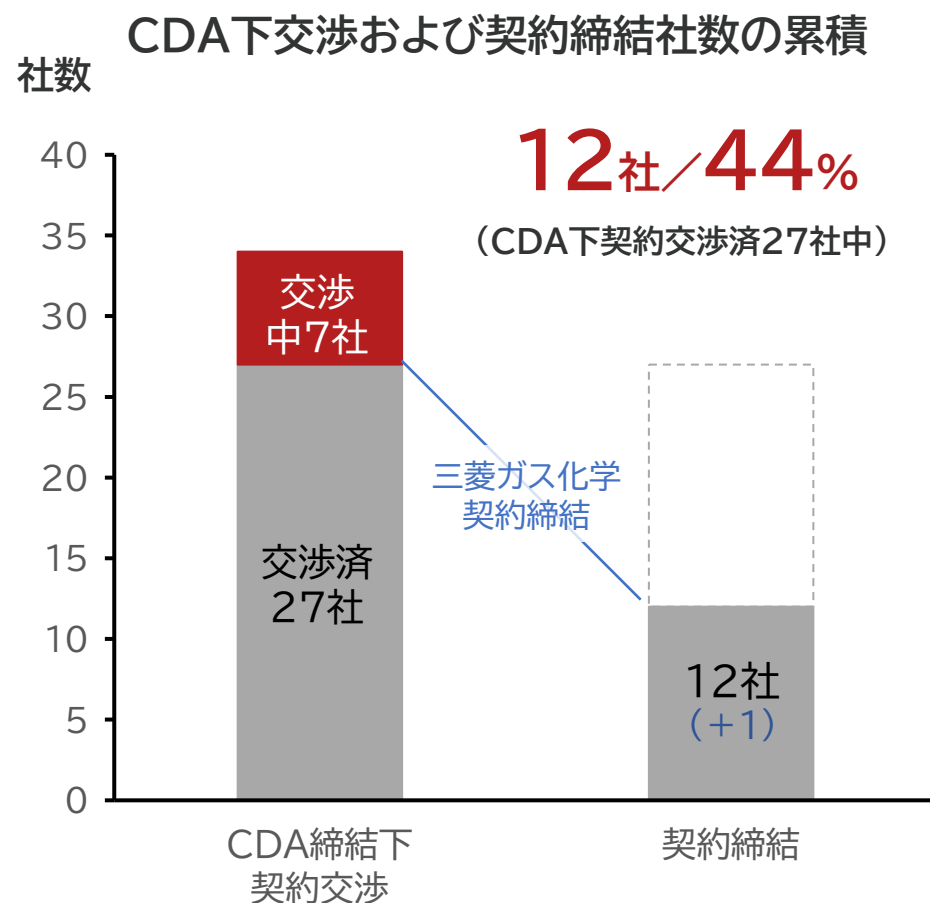
2025年6月末現在

- ➡ 新規契約による収益拡大

(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。

## 年間2社との新規契約締結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、新規契約締結まで至った確率は約44%、契約締結に至るまでの期間(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数を確保するように事業開発を展開している。



# 2025年12月期 下期スケジュール

事業活動

知財

その他

## KPI項目

新規契約の締結  
(2025年度 3, 4件目)

パートナー企業との  
共同創薬研究の推進

各種展示会への参加



ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット(JHVS) 2024参加の様子

## KPI項目

自社パイプライン  
1本目(核酸医薬品) 特許出願



プラットフォーム基盤特許  
米国における効力発生  
(2025年7月特許査定受領)

将来の事業基盤となる  
知財の強化・拡充

学会への参加

第52回国際核酸化学シンポジウム  
・日本核酸化学会第9回年会

第42回 メディシナルケミストリーシン  
ポジウム

8th Annual RNA Targeted  
Drug Discovery &  
Development Summit

新川崎研究所  
移転準備



項目達成

## 2025年度中のKPI達成に向けた進捗状況

新規契約研究は、年度内4件中2件達成。自社パイプラインは、下期中に特許出願予定。  
残り2件の新規契約の獲得等により、下期の黒字回復を目指す。



KPI項目達成



KPI達成を目指す

新規契約  
(年度内に4件)



LCC  
Technologies



三菱ガス化学



残り2件は下期達成を目指す

自社パイプライン創出  
(年度内に1本)



下期中の特許出願を目指す

事業収益額



下期黒字回復を目指す

2025年6月末現在





# 4 財務ハイライト

Financial Highlights

# 2025年12月期 第2四半期業績概要

mRNA標的的低分子創薬事業にて各パートナーとの共同創薬研究が進捗し、事業収益はマイルストーン収入や研究支援金など43百万円を計上した。2025年度は、下期における新規契約締結の契約一時金および進行中の共同創薬研究から得られるマイルストーン収入等で黒字化の見込み。

(要約)損益計算書 (単位:百万円)

|        | 2024年度<br>第2四半期実績 | 2025年度<br>第2四半期実績 | 増減額  | 増減率    |
|--------|-------------------|-------------------|------|--------|
| 事業収益   | 115               | 43                | △72  | -62.6% |
| 事業費用   | 182               | 229               | 46   | 25.7%  |
| 営業利益   | △66               | △186              | △119 | —      |
| 営業外損益  | △21               | 3                 | 25   | —      |
| 経常利益   | △88               | △182              | △94  | —      |
| 四半期純利益 | △90               | △184              | △94  | —      |

2025年度第2四半期  
主な内訳 (単位:百万円)

うち マイルストーン収入  
研究支援金等

10  
33

うち 研究開発費  
販売費及び一般管理費

94  
135

# 四半期業績の推移(FY2023Q3～FY2025Q2)

(要約)四半期会計期間損益計算書 (単位:百万円)

| QoQ    | FY2023<br>Q3 | FY2023<br>Q4 | FY2024<br>Q1 | FY2024<br>Q2 | FY2024<br>Q3 | FY2024<br>Q4 | FY2025<br>Q1 | FY2025<br>Q2 |
|--------|--------------|--------------|--------------|--------------|--------------|--------------|--------------|--------------|
| 事業収益   | 29           | 81           | 32           | 83           | 49           | 29           | 24           | 19           |
| 事業費用   | 80           | 83           | 97           | 85           | 104          | 120          | 105          | 124          |
| 営業利益   | -51          | -2           | -65          | -1           | -54          | -91          | -81          | -105         |
| 営業外損益  | -1           | 0            | -22          | 0            | 0            | 1            | 1            | 1            |
| 経常利益   | -53          | -1           | -87          | -1           | -54          | -90          | -79          | -103         |
| 四半期純利益 | -53          | -2           | -87          | -2           | -55          | -90          | -79          | -104         |

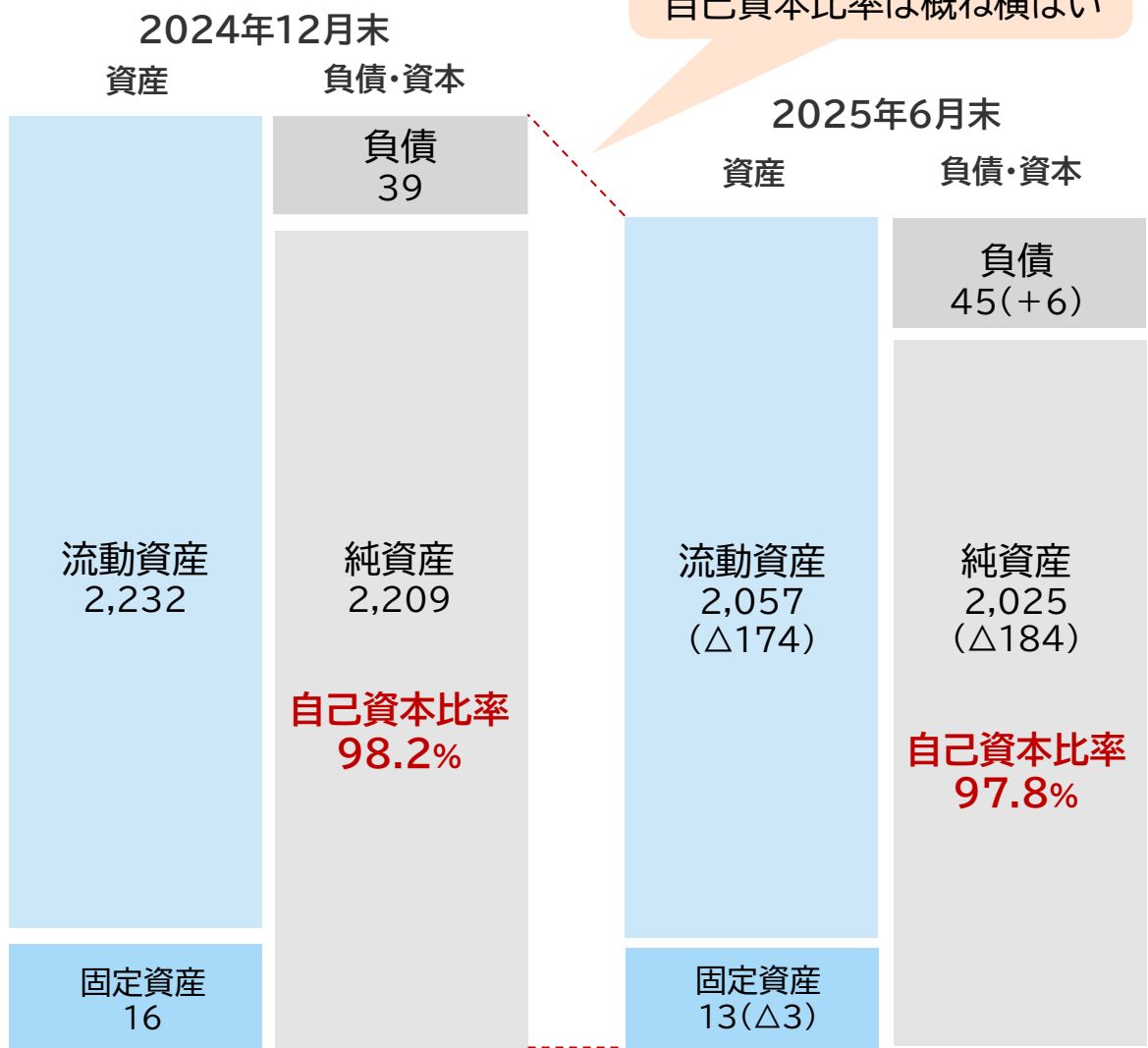
# 財務状況の推移

2025年第2四半期に、資本政策の柔軟性・機動性を確保するため、資本金の額を77百万円から10百万円に減少(減資)させた。

貸借対照表の推移 (単位:百万円)

|          | 2024年度<br>期末 | 2025年度<br>第2四半期末 |
|----------|--------------|------------------|
| 現金及び預金   | 2,173        | 2,023            |
| 流動資産合計   | 2,232        | 2,057            |
| 有形固定資産   | 14           | 9                |
| 固定資産合計   | 16           | 13               |
| 資産合計     | 2,248        | 2,070            |
| 負債合計     | 39           | 45               |
| 資本金      | 77           | 10               |
| 純資産合計    | 2,209        | 2,025            |
| 負債・純資産合計 | 2,248        | 2,070            |

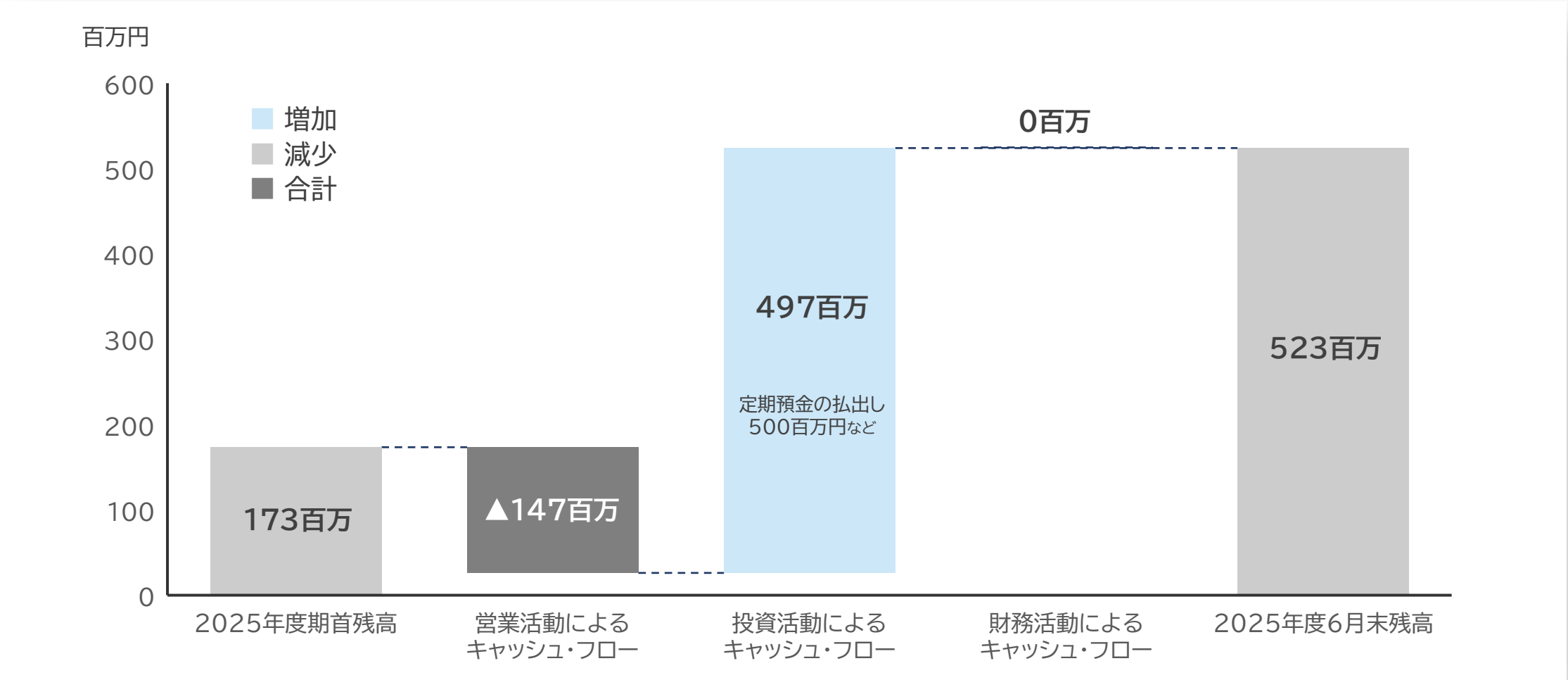
バランスシート推移 (単位:百万円)



※本図のバランスシート項目の割合は概念的なイメージであり、正確な数値を反映したものではない。

# 2025年12月期 中間会計期間のキャッシュ・フロー

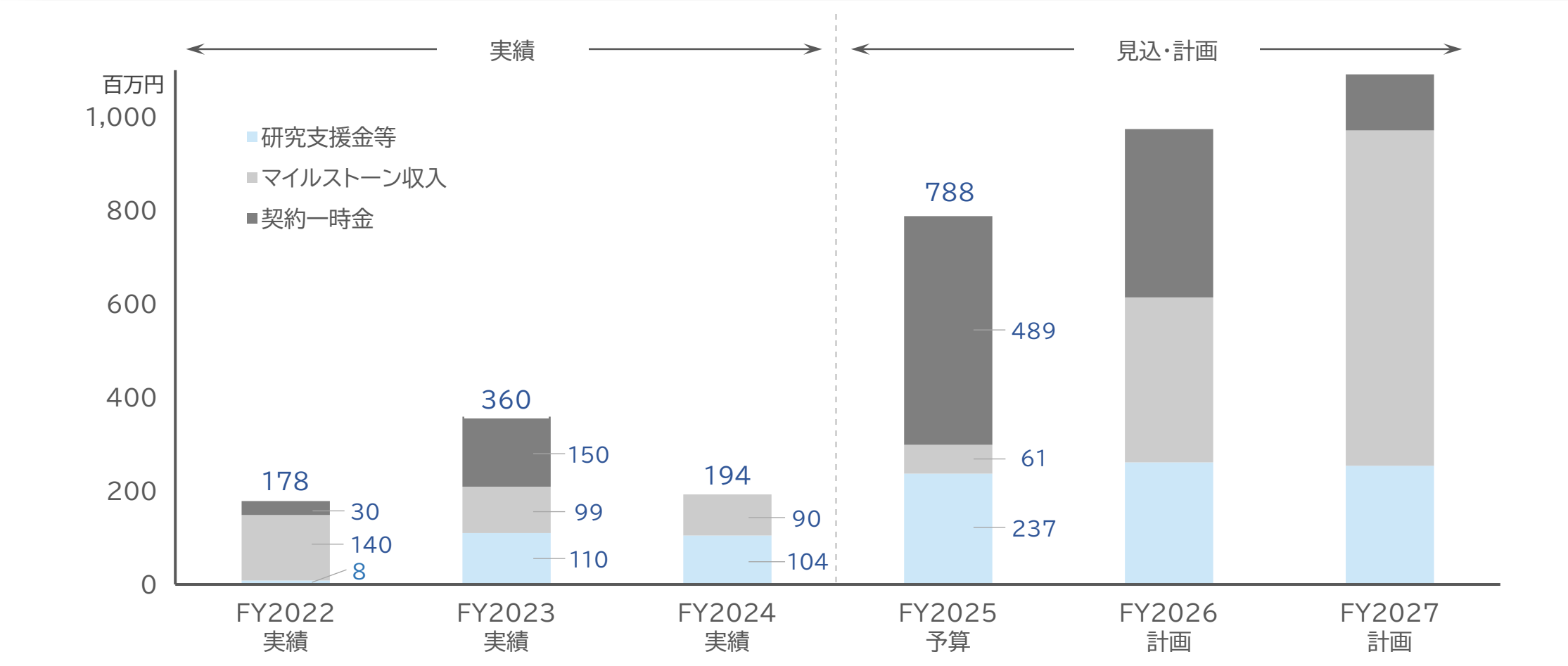
当中間会計期間末における現金及び現金同等物の残高は、期首より350百万円増加し523百万円となった。  
当中間会計期間におけるキャッシュ・フローの状況は、以下の図の通りである。





# 各年度 事業収益の実績及び見込/計画

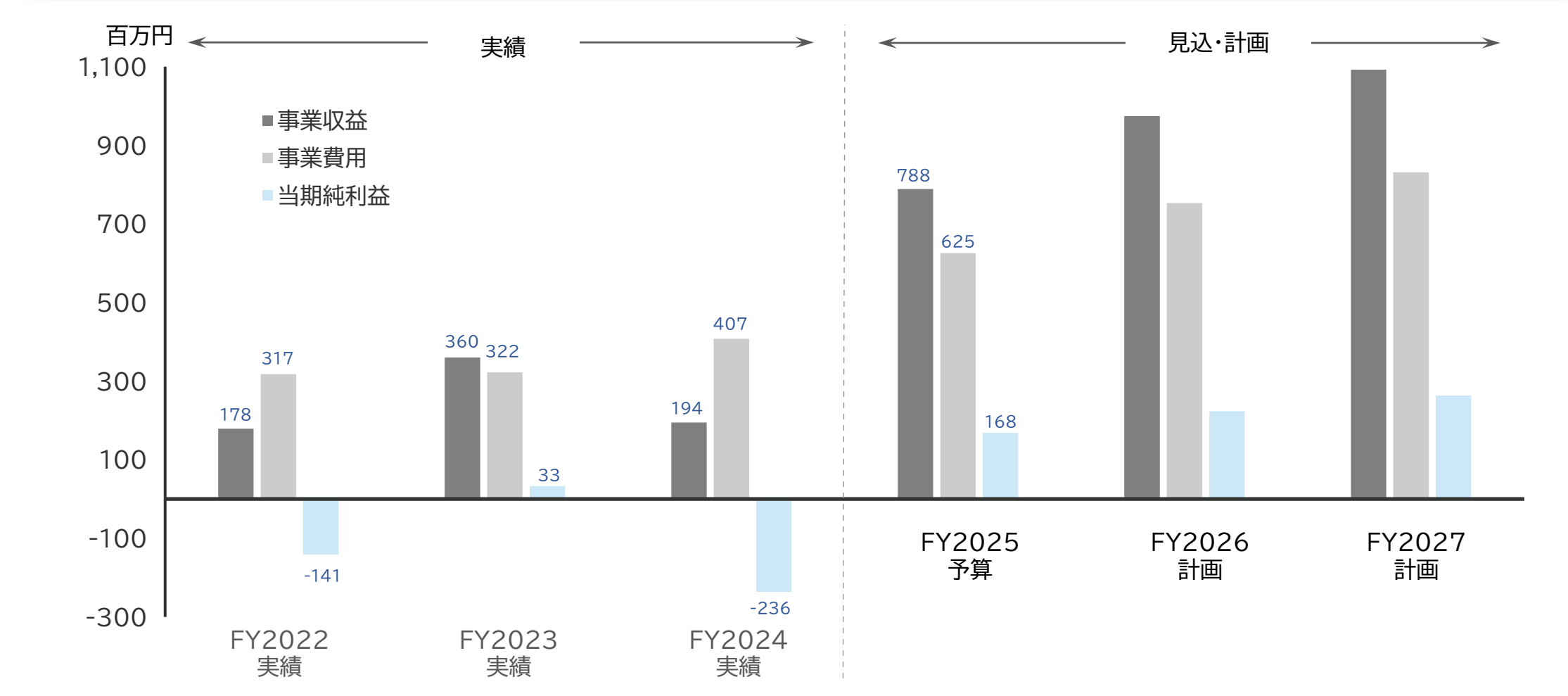
2025年度以降は、各年度にて複数の新規契約を締結するとともに、共同創薬研究を着実に進捗させ、研究支援金等の安定的確保を図る。



(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る。計画の数値は非開示

# 各年度 収支の実績及び予算/計画

2025年度以降の中期経営計画期間中、新規契約の締結やマイルストーン等の達成により黒字回復を目指す。



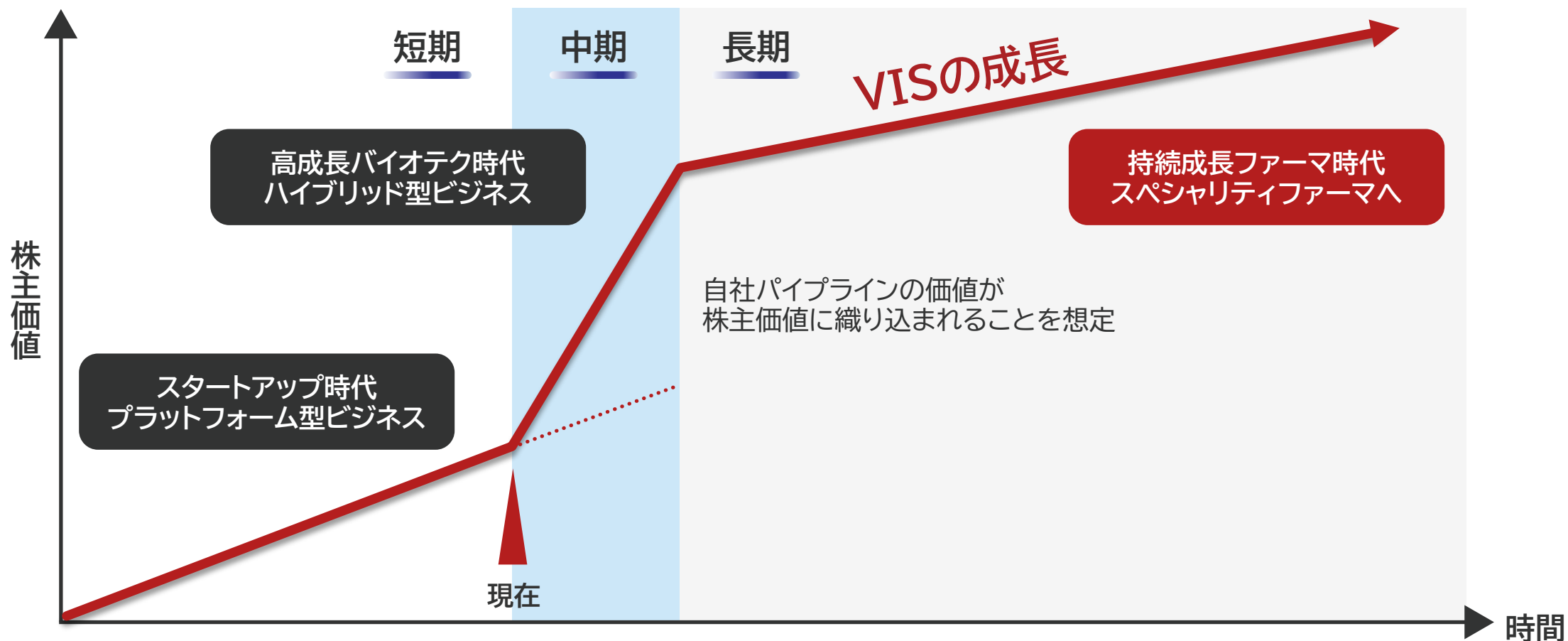


# 5 成長戦略

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

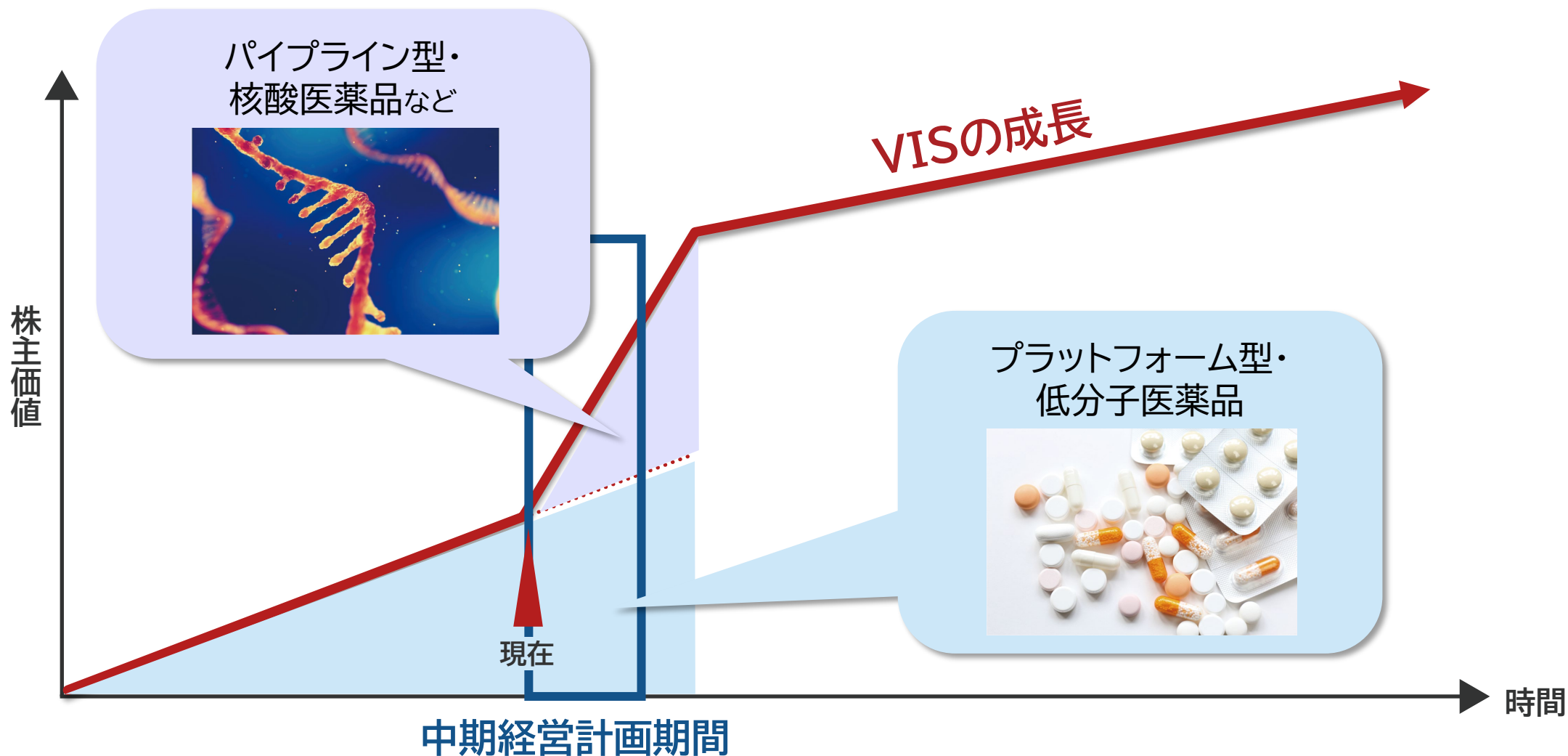
プラットフォーム型ビジネスから、高成長を目指すハイブリッド型ビジネスへとビジネスモデルを転換した。持続的な成長を遂げるため、最終的には、mRNA関連の創薬を主軸とし、研究開発・販売機能等を備えた製薬会社(スペシャリティファーマ)へと移行する方針。



(注) 本図は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ない。

## 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

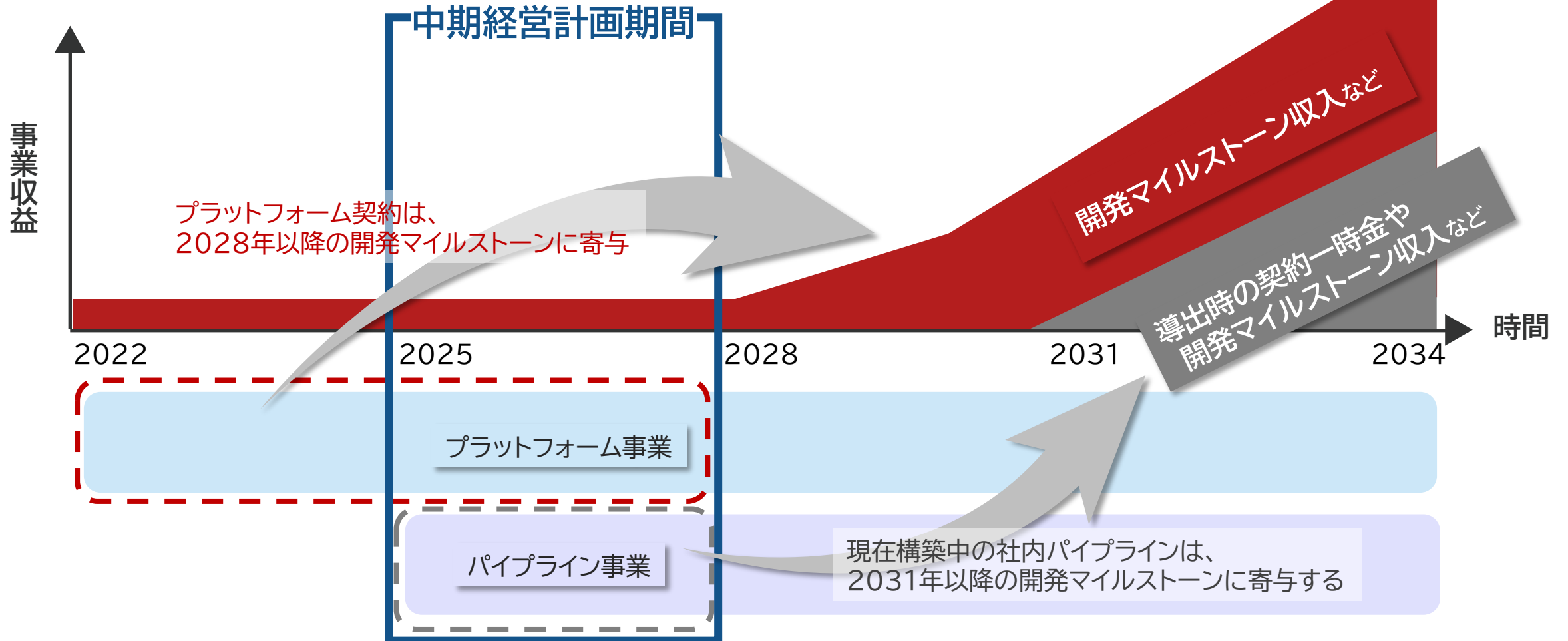
mRNA標的 low 分子医薬品のプラットフォーム型ビジネスを拡大しつつ、核酸医薬品を中心に自社パイプラインの創出を目指すことで、当社の株主価値の向上を図る。



## 経営課題：収益の再投資により将来価値を最大化する

中期経営計画期間は、将来の成長のために社内パイプラインの構築に投資する時期。

中期経営計画以降に、過去・現在の投資が、開発マイルストーン収入等の大きな収益に結び付くように設計している。



(注) 本図はあくまでも事業収益の推移や収益達成時期のイメージであり、実際の事業収益額の推移や時期を約束するものではない。



## 2030年のVISのビジョンに向けた中期経営計画期間中の各年度目標

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。  
2025～2027年にかけてプラットフォーム事業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へ。

### 【中期経営期間中のKPI】

- ・新規契約締結数※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

### 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締結
- ・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件締結
- ・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件締結
- ・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

- ※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、新規の契約2件、合計4件の契約締結を目標とします。新規2件のうち1件は、2024年12月にLCCと前倒して契約締結済み

# 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

2025年下期に当社プラットフォームの基盤特許が世界の主要国(日米欧)で権利化される。

これを契機に、大手製薬企業や海外の製薬会社を新たな創薬パートナーとして獲得し、さらなる事業拡大を目指す。

## 欧州主要ファーマ



2023年5月  
事業協力開始



2024年12月  
事業提携開始

欧州企業

4/7社

CDA締結中

<sup>14</sup>Si



2023年6月  
共同創薬研究開始

米国主要ファーマ

2025年6月末現在

## 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

共同研究や講義・講演を通じてアカデミアと良好な関係を構築するとともに、当社創薬技術の向上ひいては日本の科学技術界に貢献する。

### mRNAに関するアカデミアとの共同研究

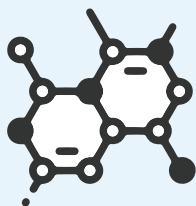
大阪大学 2件

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

#### 2025年実施済の社長講演

大阪大学 第113回産研テクノサロン

日本化学会 第105 春季年会  
CIP シンポジウム

日本化学会 第105 春季年会  
「論説フォーラム」

第6期バイオインベストメントギルド  
第7回セミナー

Wells Partners  
「企業研究会&経営者交流会」

## 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。自社パイプラインによる核酸医薬品の創出に加え、アカデミア・企業との共同研究等を通じてmRNA医薬品および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 →

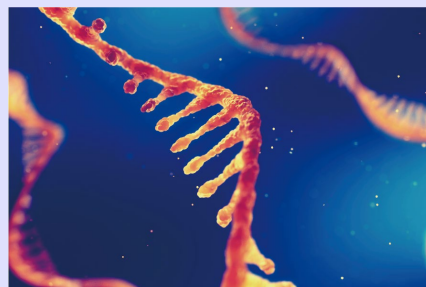
01



### 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および核酸医薬品を創出する。

# 将来のパイプライン候補：低分子および核酸医薬品以外のRNA関連医薬品

当社の技術は、RNAを研究する基礎技術であるため、その応用範囲は極めて広い。  
治療法がないと諦めている患者さまを一人でも減らすため、患者会との情報交換などを通じて、当社独自の視点から新たな治療法を模索。

|            | 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 |
|------------|-------------|---------|----------|-----------|
| mRNA医薬品    |             |         |          |           |
| ファブリー病     | <div></div> |         |          |           |
| ハンター症候群    | <div></div> |         |          |           |
| ncRNA標的医薬品 |             |         |          |           |
| 多発性骨髄腫     | <div></div> |         |          |           |





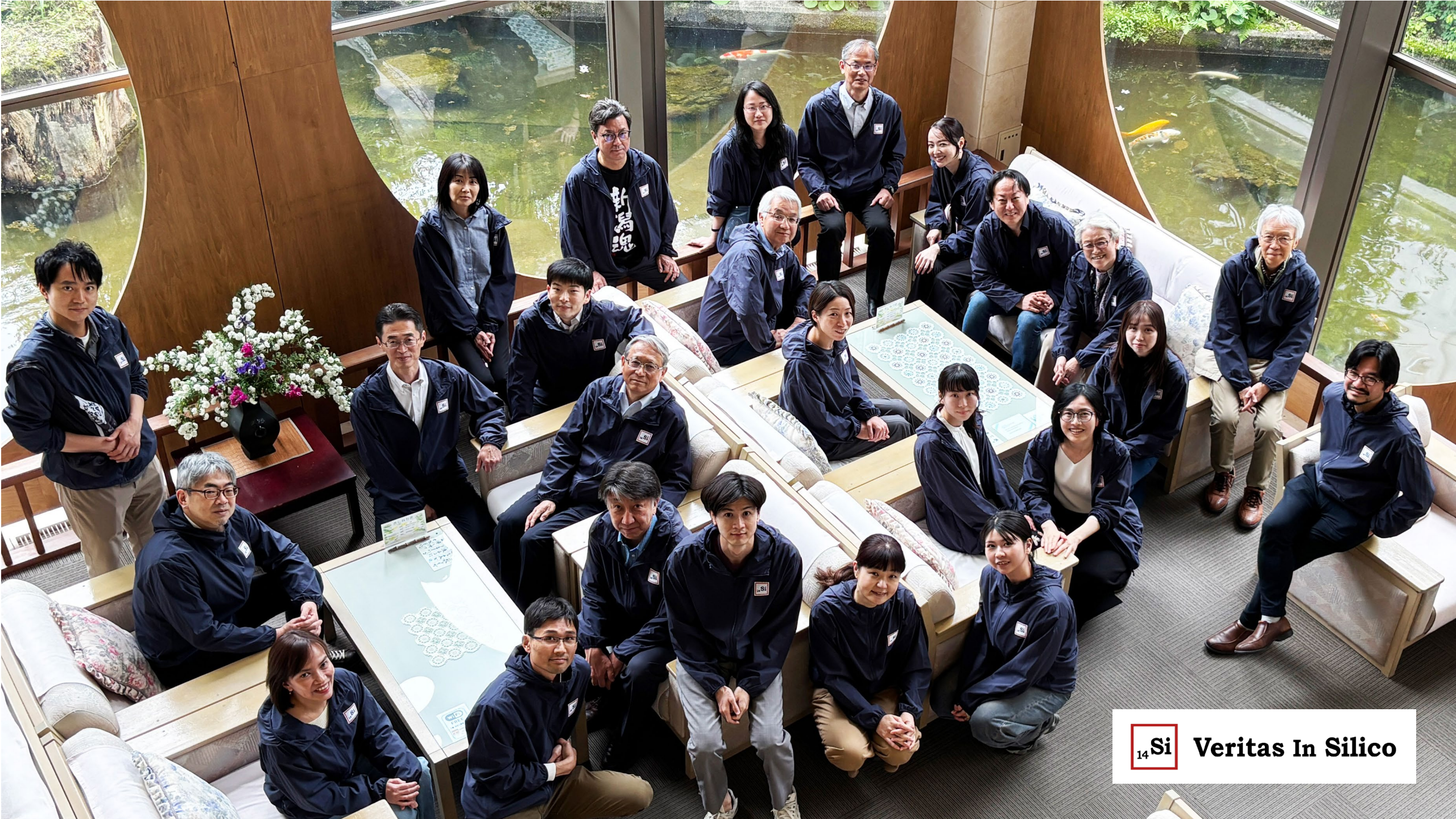
理念

# mRNA標的創薬で 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

どんな疾患の患者さまも  
最適な治療が  
受けられるように





**Veritas In Silico**