

シンバイオ製薬株式会社

2023年度中間決算説明会

2023年8月8日

目次

第1部： 2023年度中間決算概要	3
第2部： 2023年度通期見通し	10
第3部： 事業戦略の展開	14

第1部：2023年度中間決算概要

第2部：2023年度通期見通し

第3部：事業戦略の展開

2023年度上半期 損益計算書



【業績ハイライト】

- 売上高は31.8億円、前年同期比△34.8%(△17.0億円)減少
- 売上総利益は24.7億円、前年同期比△38.3%(△15.4億円)減少
- 販売費及び一般管理費は25.2億円、前年同期比△4.4%(△1.2億円)減少
- 営業利益は△0.5億円の赤字

(単位:百万円)	2023年度 1H実績	2022年度 1H実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	3,178	4,873	△ 1,695	△ 34.8%
製品売上	3,178	4,873	△ 1,695	△ 34.8%
その他売上	0	0	0	-
売上原価	705	863	△ 157	△ 18.3%
売上総利益	2,473	4,010	△ 1,537	△ 38.3%
販売費及び一般管理費	2,522	2,637	△ 115	△ 4.4%
研究開発費	1,203	1,009	194	19.3%
営業利益	△ 49	1,372	△ 1,422	-
当期純利益	△ 79	1,108	△ 1,187	-

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(単位:百万円)

2023年度6月末 貸借対照表



【業績ハイライト】

- 資産合計は92.1億円、前年度末比△12.3億円減少
- 前年度末比主な減少は、売掛金△9.9億円、現金及び預金△2.1億円減少
- 負債合計は8.3億円、前年度末比△11.0億円減少
- 純資産は83.8億円、前年度末比△1.3億円減少

(単位:百万円)	2023年6月末	2022年12月末	増減
流動資産	8,151	9,312	△ 1,161
現金及び預金	6,076	6,282	△ 206
固定資産	1,054	1,120	△ 65
資産合計	9,206	10,433	△ 1,226
流動負債	824	1,923	△ 1,099
固定負債	3	3	0
純資産(株主資本等)	8,378	8,506	△ 128
負債純資産合計	9,206	10,433	△ 1,226

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています (単位:百万円)

当社のジェネリック製品への対応

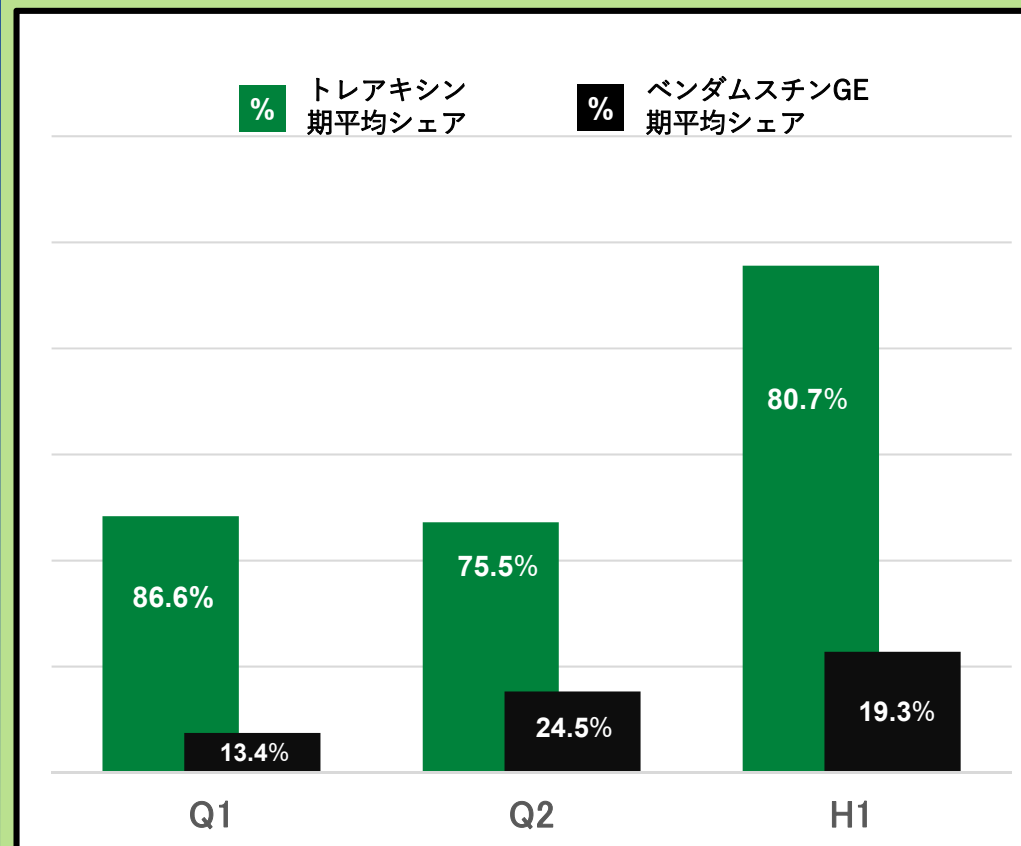
GEの浸食を受けるも経費節減・仕入価格低下により営業赤字幅を圧縮



対応状況と法的措置

- 米国E社と当社は東和薬品株式会社とファイザー株式会社に対して特許権侵害訴訟を東京地裁に提起
- 裁判所の考え方が2024年初旬にかけて示され、販売差止の判断と損害額の算定に進む
- 今期末まで徐々に後発品の浸食は進むものと予想、2023年12月末のトレアキシンのシェアは60.0%を想定。(今期の想定)

市場シェア推移 (トレアキシンのシェア vs GE)



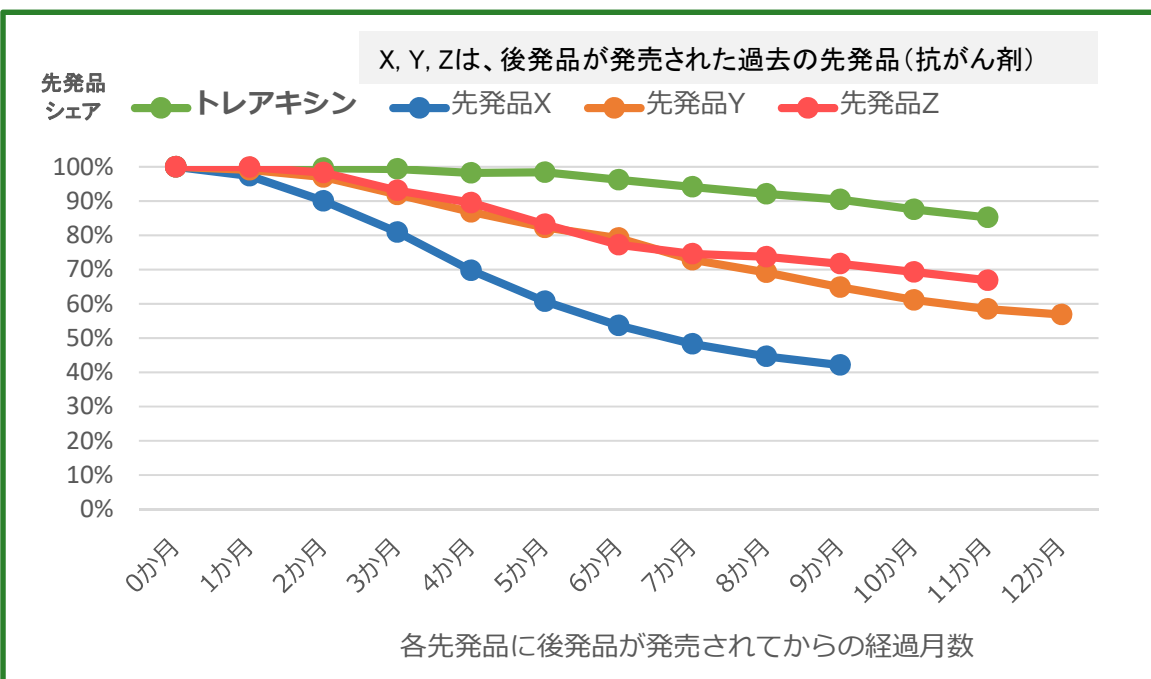
引用：外部データ

先発品(トリアキシン)シェアの推移

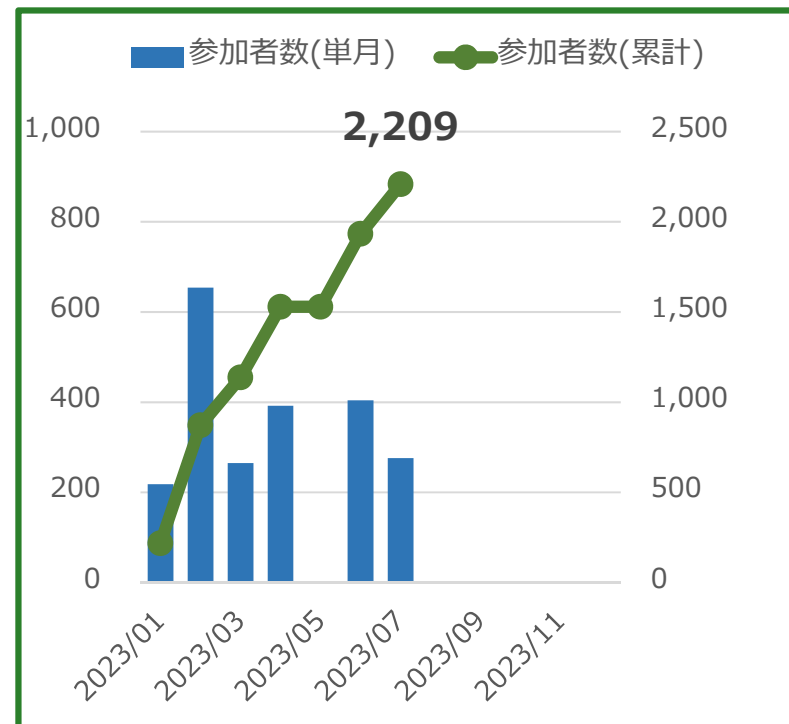
【対GEに対する当社の強み】

- 当社トリアキシンマネジャーによる、適正使用を含めての高質の情報提供
- DxによるWebセミナーの企画と運営
- シンバイオ製薬に対する医療従事者からの信頼

他剤との比較: 先発品(トリアキシン)のシェア推移



- 7月11日開催 Webセミナー
- 「EBV関連リンパ腫発症のメカニズム」
- 参加者数 276名



2023年度 上半期の事業成果

1 注射剤BCVのPOC達成 (AdV第Ⅱ相試験コーホート3)

2 アメリカ国立衛生研究所の2つの研究所(NINDS及びNIAID)とCRADA(共同研究開発契約)を締結し、試験を実施中

3

- BCVの抗ガン活性の作用機序(Myc抑制)の解明
- 抗がん活性のバイオマーカー(TLE1)の発見

4 カリフォルニア大SF校、NCCS, NIH/NINDS との共同研究の成果
→ 2~3の疾患を対象として、臨床試験を計画

5 3件の特許申請

6 新剤型の開発着手

安全性

- ◆ 治験データ独立安全性モニタリング委員会 (DSMB) による評価
- ◆ FDAによる確認

有効性

- ◆ 用量依存的に有効性を確認
- ◆ 体内ウィルス量が検出レベル以下に減少

注射剤BCV ヒトPOC を達成

【新薬開発におけるヒト 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う。臨床試験により実証された場合、ヒト POCの確立という。

第1部：2023年度中間決算概要

第2部：2023年度通期見通し

第3部：事業戦略の展開

2023年度 下半期業績 予想



【業績ハイライト】

- 売上高は、33.0億円を見込む(上半期対比3.7%増)
- 売上総利益は、25.8億円を見込む(上半期対比4.3%増)
- 販売費及び一般管理費は、28.6億円(上半期対比13.4%、3.4億円増)
 - 研究開発費増加(4.7億円)
- 営業利益及び当期純利益は、各々△2.8億円、△2.9億円の損失を見込む

(単位:百万円)	2023年度 1H実績	2023年度 2H見通し	増減	増減率 (%)
売上高	3,178	3,298	119	3.7%
製品売上	3,178	3,298	119	3.7%
その他売上	0	0	0	-
売上原価	705	718	12	1.7%
売上総利益	2,473	2,579	106	4.3%
販売費及び一般管理費	2,522	2,861	338	13.4%
研究開発費	1,203	1,676	472	39.2%
営業利益	△ 49	△ 281	△ 231	-
当期純利益	△ 79	△ 290	△ 210	-

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(単位:百万円)

2023年度 通期業績見込

ジェネリック製品の浸透は続くものの、営業利益は据え置く



【2023年度 通期業績見込のハイライト】

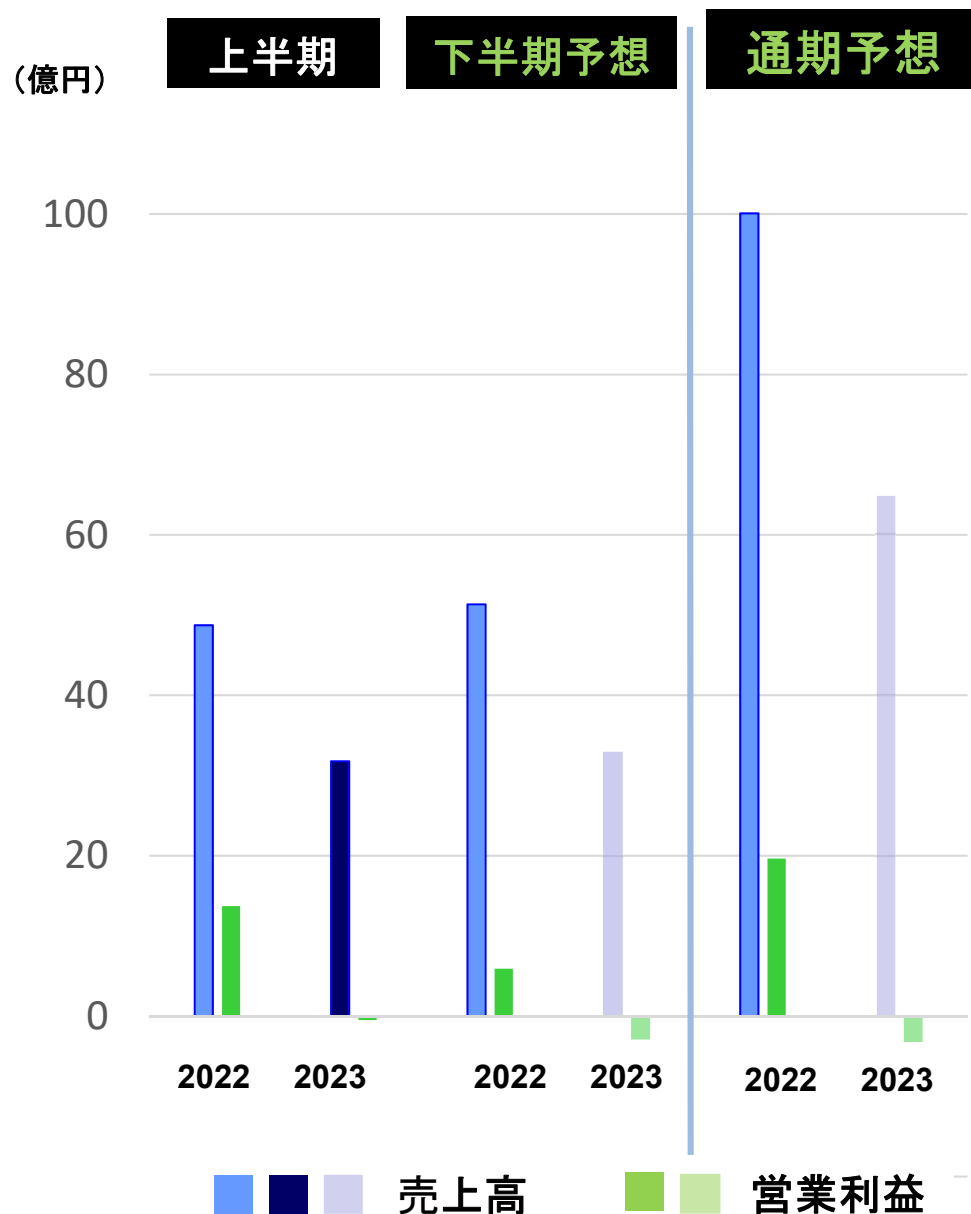
- 売上高は計画比△5.2億円減(△7.5%)。前年比では△35.3億円減(△35.3%)
-対計画比:GE浸透は想定通り。売上差異は主に5類に移行したコロナの影響
- 売上総利益は、利益率は計画対比0.9%の悪化、売上減に伴い△4.7億円減
- 販売費及び一般管理費は、BKV試験の遅れ及び経費節減の結果△4.7億円減
- 営業利益は、△3.3億円の当初赤字予想を据え置く

(単位:百万円)	2023年度 計画	2023度 見込	計画比増減	増減率 (%)
売上高	7,000	6,477	△ 523	△7.5%
製品売上	7,000	6,477	△ 523	△7.5%
その他売上	0	0	0	-
売上原価	1,474	1,424	△ 50	△3.4%
売上総利益	5,526	5,053	△ 473	△8.6%
(同率)	78.9%	78.0%	△0.9%	-
販売費及び一般管理費	5,857	5,384	△ 473	△8.1%
研究開発費	3,380	2,880	△ 500	△14.8%
(BCV直接経費)	1,739	1,339	△ 400	△23.0%
営業利益	△ 331	△ 331	0	-
当期純利益	△ 370	△ 370	0	-

※金額は単位未満を切り捨てて表示しています

(単位:百万円)

前年同期比:通期業績(予想)



- **【上半期】** 売上高は31.8億円、前年同期比 $\Delta 34.8\%$ ($\Delta 17.0$ 億円)減少
営業利益は $\Delta 0.5$ 億円の赤字と、前年同期比 $\Delta 14.2$ 億円の減少
- **【下半期】** 売上高は33.0億円、前年同期比 $\Delta 35.7\%$ ($\Delta 18.4$ 億円)減少
営業利益は $\Delta 2.8$ 億円の赤字と、前年同期比 $\Delta 8.7$ 億円の減少
- **【通期見通し】** 売上高は64.8億円、前年同期比 $\Delta 35.3\%$ ($\Delta 35.3$ 億円)減少
営業利益は $\Delta 3.3$ 億円の赤字と、前年同期比 $\Delta 22.9$ 億円の減少

第1部：2023年度中間決算概要

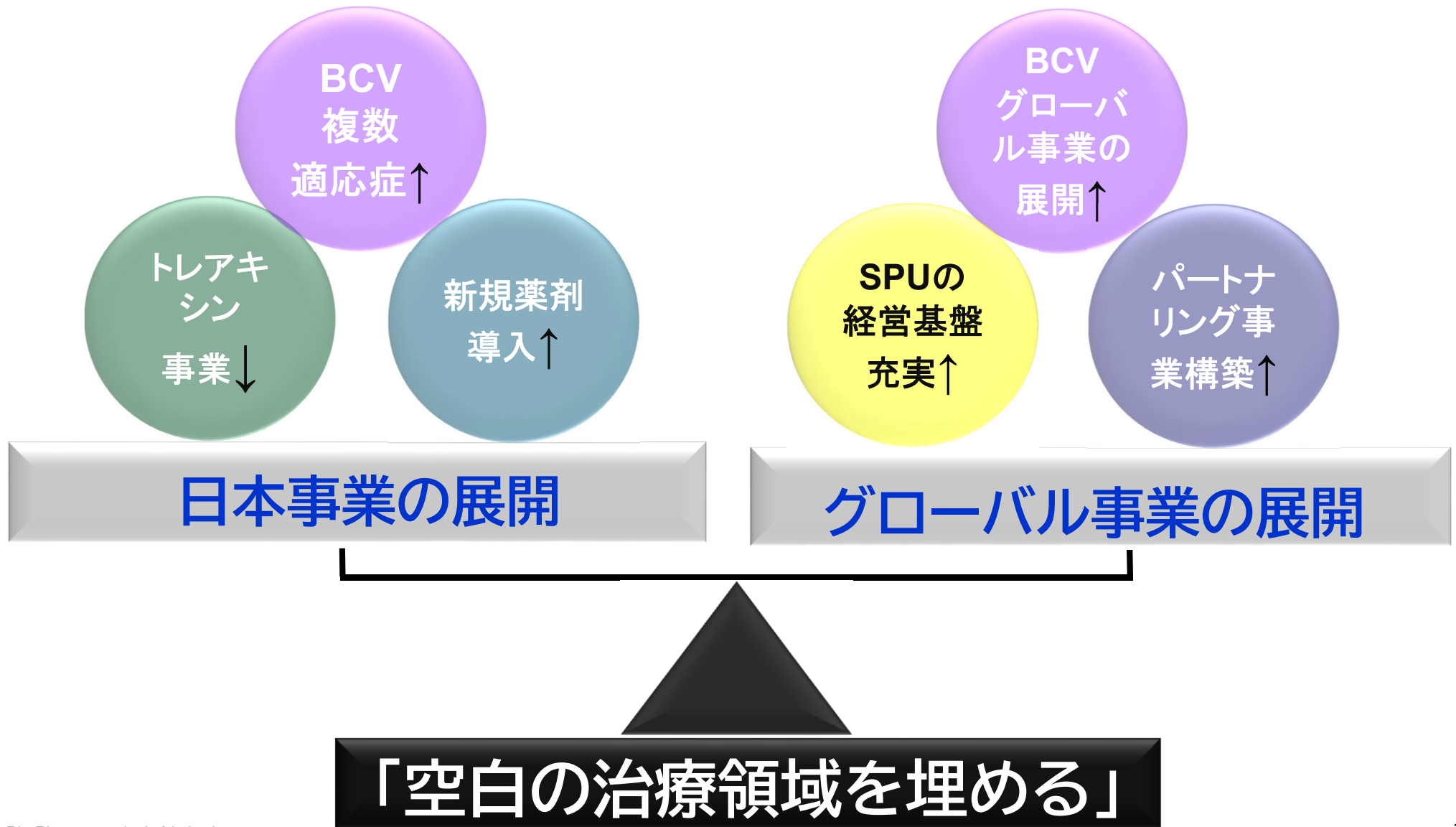
第2部：2023年度通期見通し

第3部：事業戦略の展開

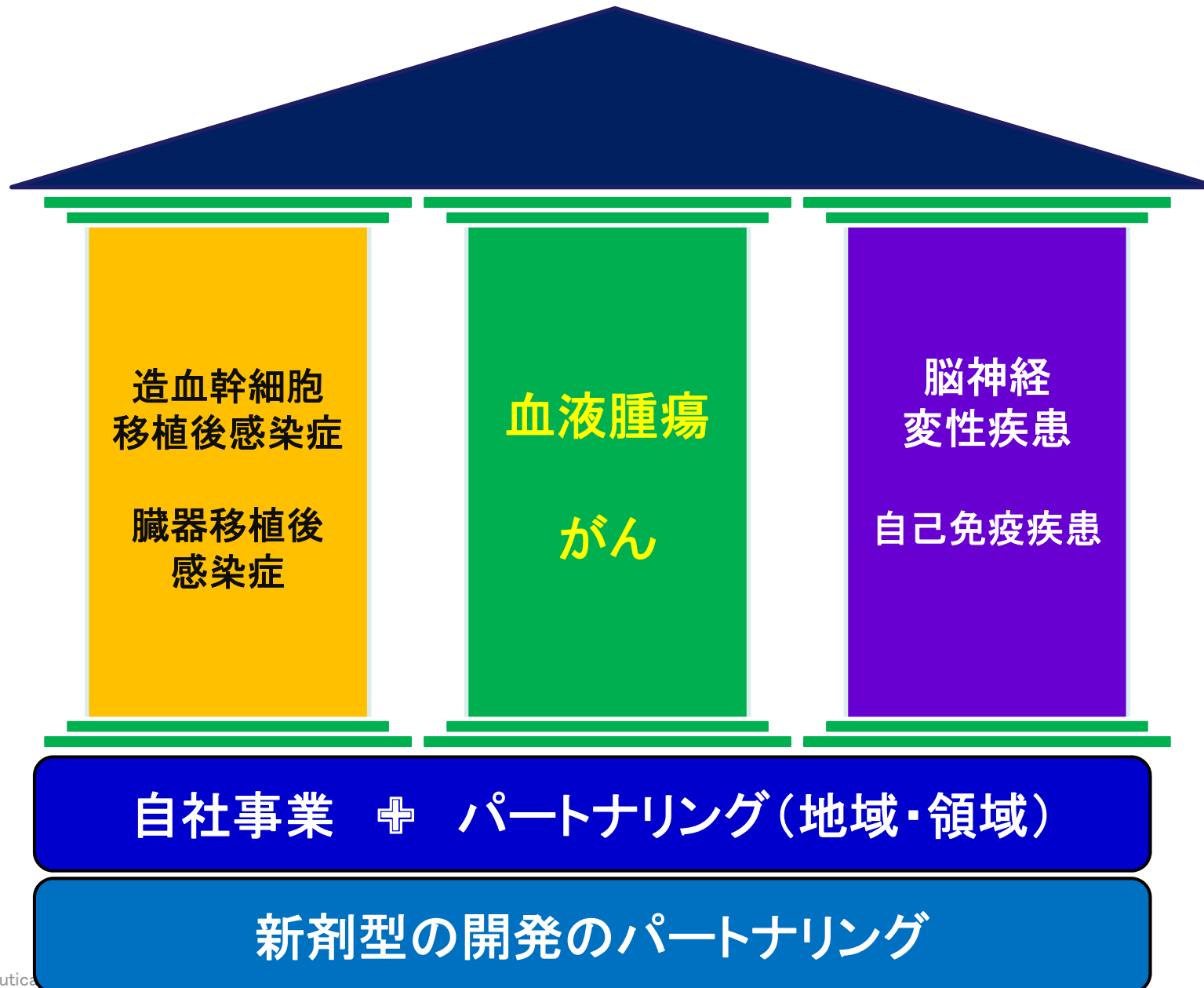
2030年に向けた 戦略的取り組み

①事業のグローバル化 ②3つの治療領域の取り組み ③パートナーリング

SymBio



3本柱の治療領域からなる事業価値の創造 BCV製品戦略の展開



最高峰の研究機関と共同研究開発を推進、 “世界の知を取り込む”

SymBio

質の高い基礎データの蓄積 → 臨床試験

移植後ウイルス感染



ペンシルベニア州立大学

ポリオーマウイルス

血液腫瘍・固形がん



国立アレルギー・感染症研究所

EBV: リンパ増殖性疾患



カリフォルニア大学SF校

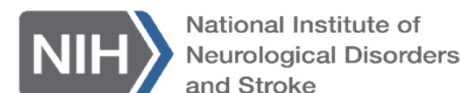
CMV: 脳腫瘍



シンガポール国立がんセンター

NK/T 細胞リンパ腫

脳神経変性疾患



国立神経疾患・脳卒中研究所

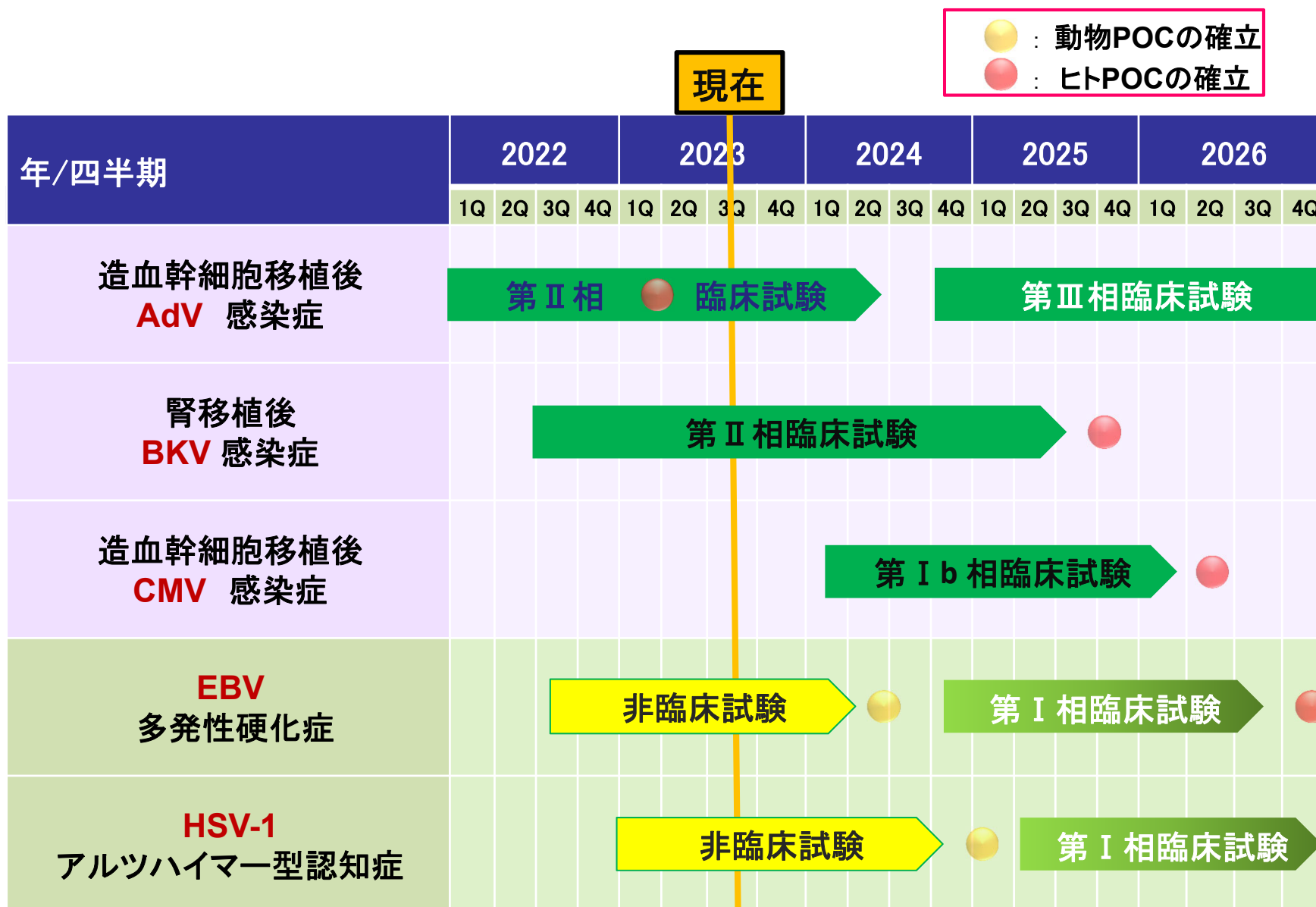
EBV: 多発性硬化症



タフツ大学

HSV-1: アルツハイマー型認知症

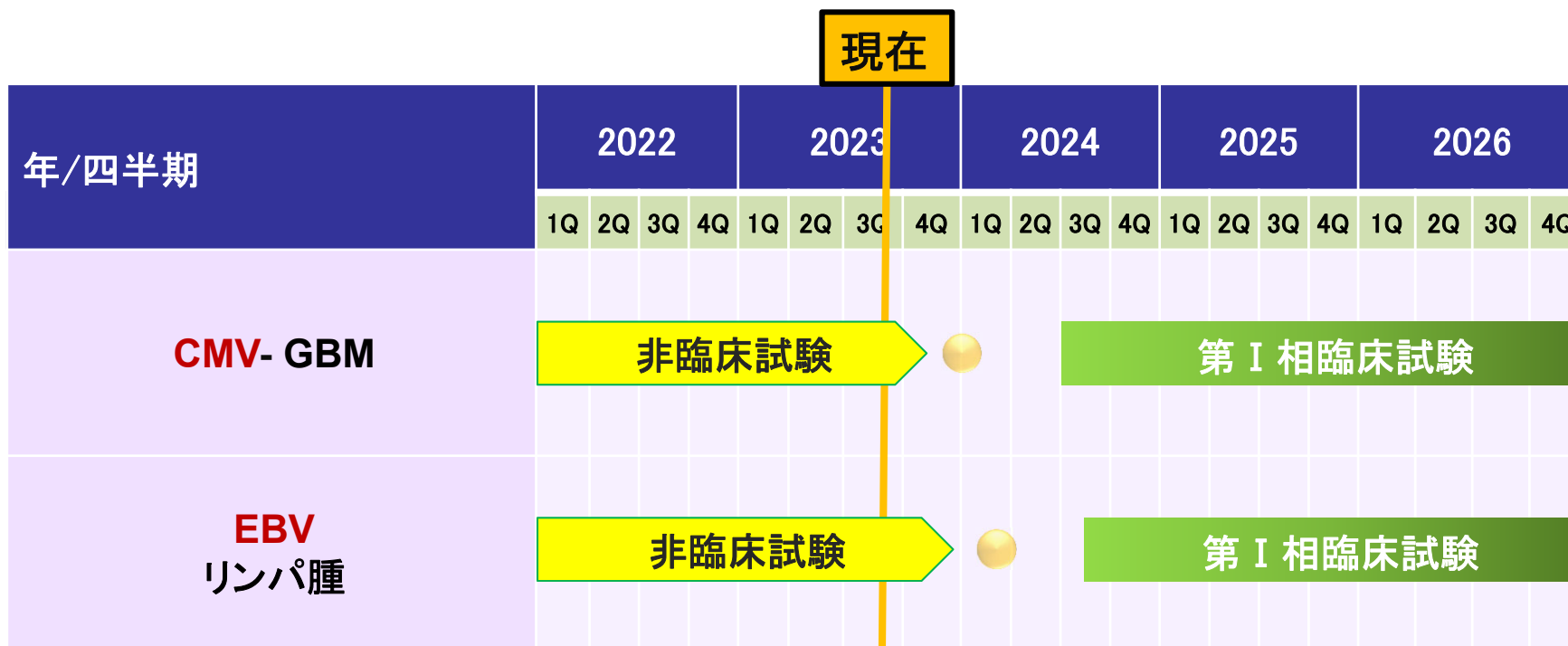
BCV 開発パイプライン： 移植後感染症 & 脳神経変性疾患領域



BCV 開発パイプライン: 血液腫瘍・がん領域



- : 動物POCの確立
- : ヒトPOCの確立



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 現在、コーホート4 を実施

試験のデザイン

BCV IVの安全性と忍容性に関する第Ⅱa相 漸増用量確認試験 進捗状況

- 対象患者: 播種性アデノウイルス疾患あるいは免疫不全状態を有するアデノウイルス感染
- 投与患者数: 27名(コーホート1~3、2023年6月末)
- **コーホート3でPOCを達成し、現在、コーホート4** の症例登録を開始

コーホート1:完了

プリンシドフォビル
0.2 mg/kg
週2回 4週間
30日間
フォロー
アップ

コーホート2:完了

プリンシドフォビル
0.3 mg/kg
週2回 4週間
30日間
フォロー
アップ

2023年5月

POCの達成を確認

コーホート3:完了

プリンシドフォビル
0.4 mg/kg
週2回 4週間
30日間
フォロー
アップ

コーホート4:症例登録中

FDAのリクエストにより、“将来のためにも”、
週1回投与での有効性・安全性の確認

プリンシドフォビル
0.4 mg/kg
週1回 4週間
30日間
フォロー
アップ

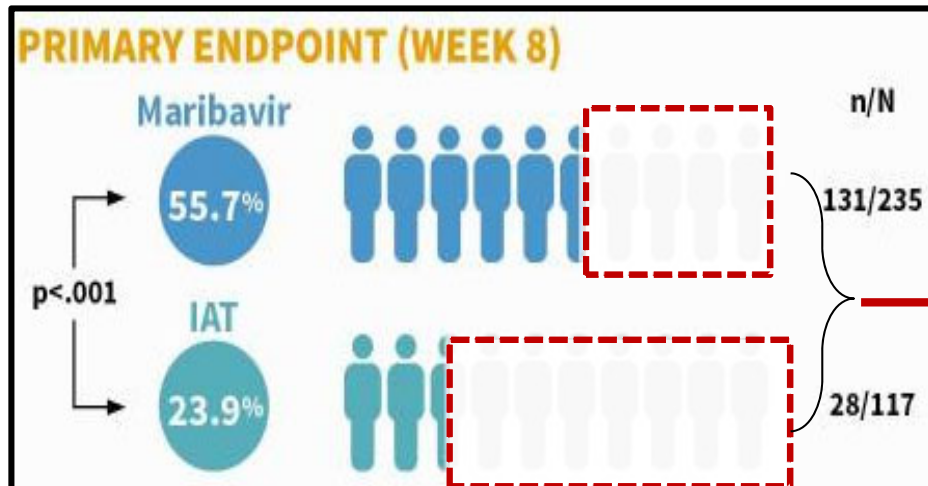
造血幹細胞移植・臓器移植後、難治性・抵抗性CMV感染症 来期Q1に、POC臨床第I b試験 開始を予定



マリバビル国際第III相臨床試験→2021年11月、FDAより承認取得

【試験結果】

- 主要評価項目：投与後8週終了時のCMV消失患者割合を達成
- しかし、44.3%は抵抗性でマリバビルの効果なし
- ウイルス検出不能後も、6週後で23%・12週後で30%が再発し耐性発現



マリバビル抵抗性を示す44.3%のCMV患者に有効な治療が無い

未充足のCMV感染患者

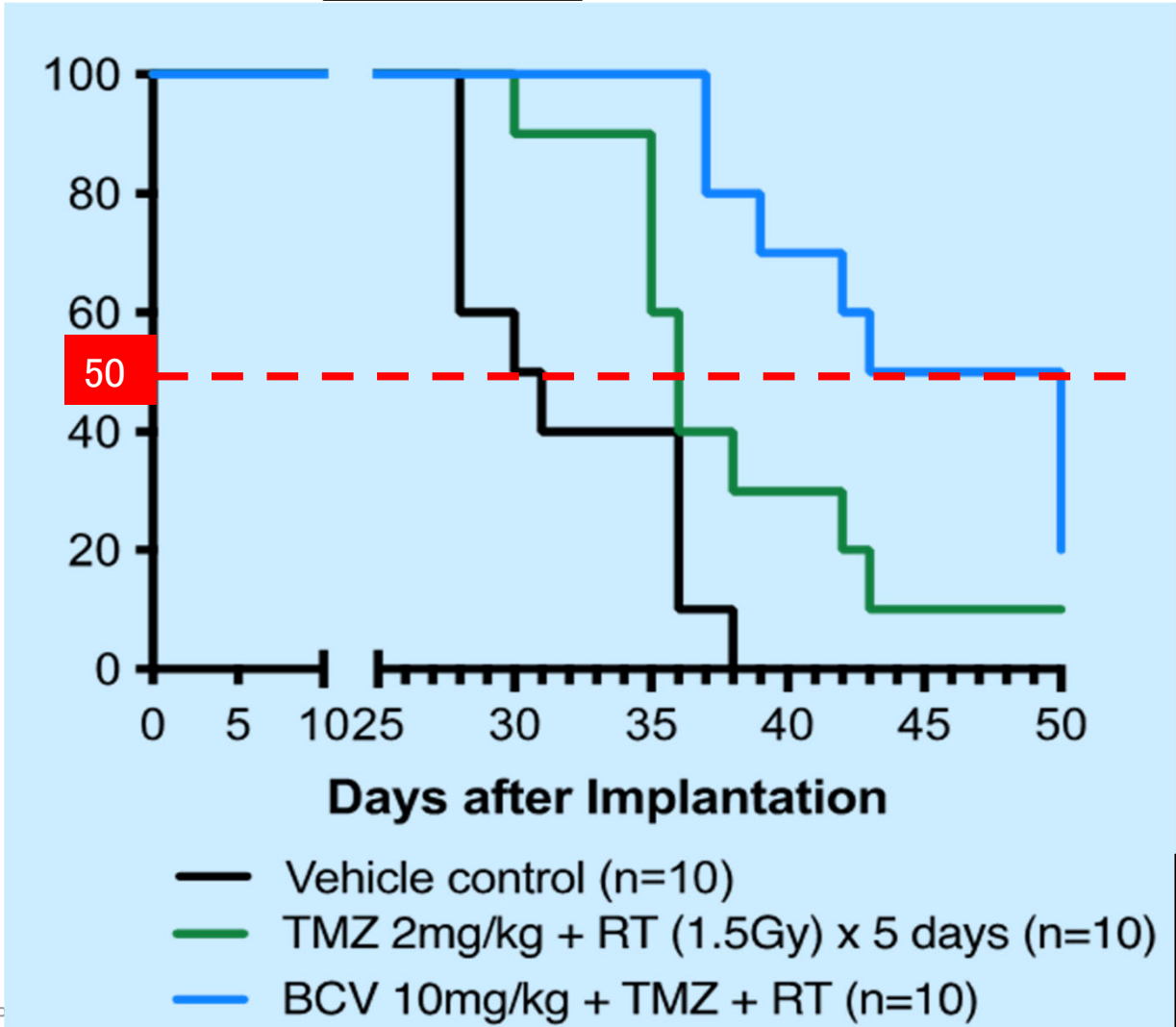
CMV(+) GBM(脳腫瘍) カリフォルニア大学SF校との共同研究の成果 → BCVの(標準療法に)上乗せ効果を確認



標準療法(TMZ+RT)に比べて
大幅に生存期間の延長を確認

生存曲線

全生存率

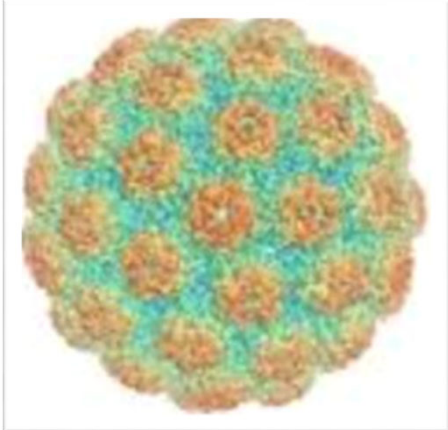


脳腫瘍とCMV感染

- GBM (神経膠芽腫) は、
 - 生存期間は15~20カ月
 - 5年生存率は5%以下
- 約50%のGBMの患者がCMVに感染
- 開発中のGBM治療薬は多くあるが、CMVと脳腫瘍の両方をターゲットにした治療薬はない

Vehicle control: 非投与群
TMZ: テモゾロミド
RT: 放射線治療

BCVはEBVに対して 高い抗ウイルス活性(EC50)を持つ



ウイルス	BCV	Cidofovir	Maribavir	Letermovir	Ganciclovir	Foscarnet	Acyclovir
CMV	0.001	0.4	0.31	0.005	3.8	50-800	>200
EBV	0.03	65.6	0.63	>10	0.9	<500	6.2
ADV	0.02	1.3	-	>10	4.5-33	Inactive	>100
BKV	0.13	115	-	-	>200	Inactive	>200

EBV感染による疾患

- ◆ バーキットリンパ腫
- ◆ 鼻咽喉がん
- ◆ T細胞/NKリンパ腫
- ◆ B細胞/DLBCL

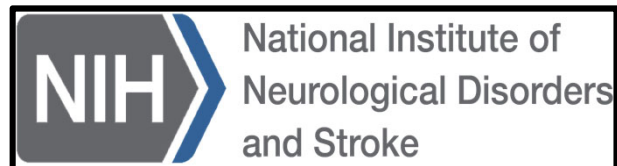
PLUS

新たなターゲット

- ✓ 多発性硬化症
- ✓ 自己免疫疾患

アメリカ国立衛生研究所とCRADA(共同研究開発契約)を締結

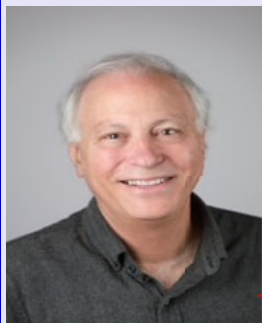
→ 多発性硬化症 の開発進捗 → ACTRIMS/ECTRIMS発表



CRADA (Cooperative Research and Development Agreement):

米国政府の研究機関が有する施設、特許、専門性を用いて民間企業と共同研究を行い、科学的・技術的知識が人類にとって有用な商業製品となることを目的とする

世界最大の生命科学・医学研究所



*Dr. Steven Jacobson, PhD,
Senior Investigator,
Viral Immunology Section*

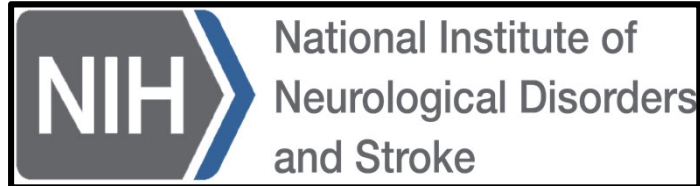


"We are excited to be moving forward on this project.
Look forward to an important and productive collaboration."

NIH/NINDSとの共同研究 →→→

新治療領域への取り組み、“新しい章”を開く

SymBio



NIH/CRADA →→→ 臨床試験

BCVの 多発性硬化症 に対する有用性の検証

“脳神経変性疾患”(NDDs) への展開

シンバイオの “トランスフォーメーション”

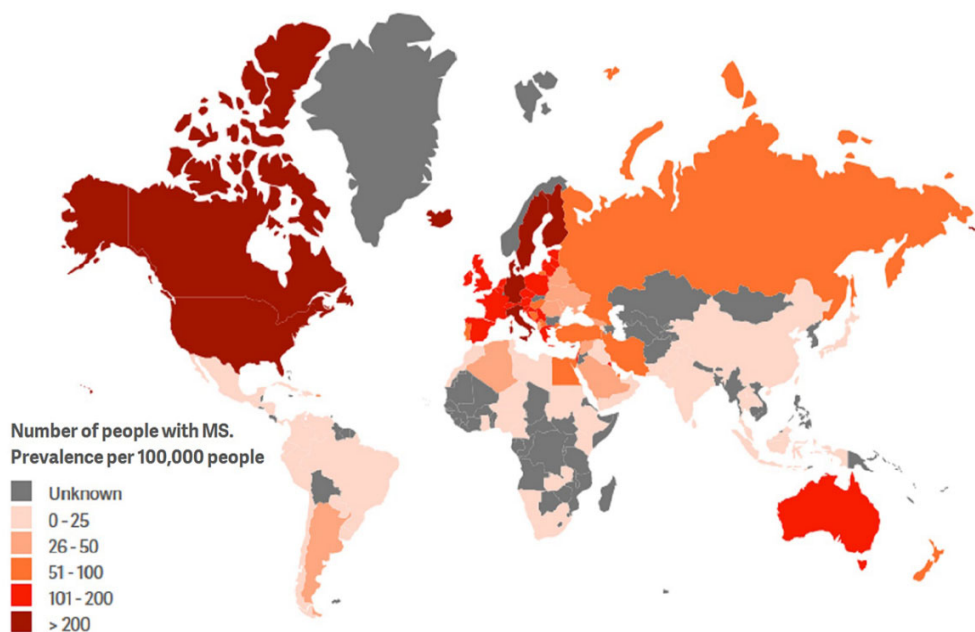
抗ウイルス剤BCVにより、 EBVを直接標的 → “ファーストインクラス”

グローバル市場のMS患者数は約300万人

10万人あたり多発性硬化症患者数(2021年)

MS 世界市場規模は1兆5千億円超

MS治療薬 売上高上位企業(2020年)



製品名	販売会社	売上高(億円)
Ocrevus (オクレパス)	Biogen / Roche / Genentech	4,922
テクフィデラ	Biogen	4,222
ジレニア/ イムセラ	Novartis/ 田辺三菱製薬	3,246
オーバジオ	Sanofi	2,491
タイサブリ	Biogen	2,078

→ 欧米諸国のMS有病率は高い

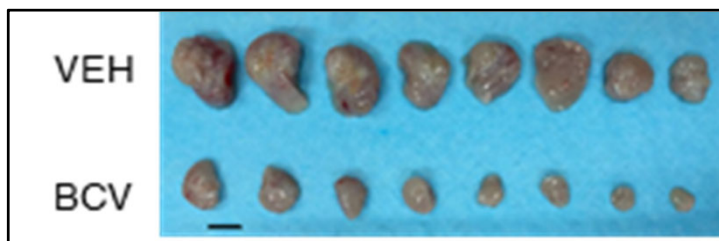
シンガポール国立がんセンターとの共同研究

BCVの抗がん活性 を実証 → NK/T細胞リンパ腫が縮小

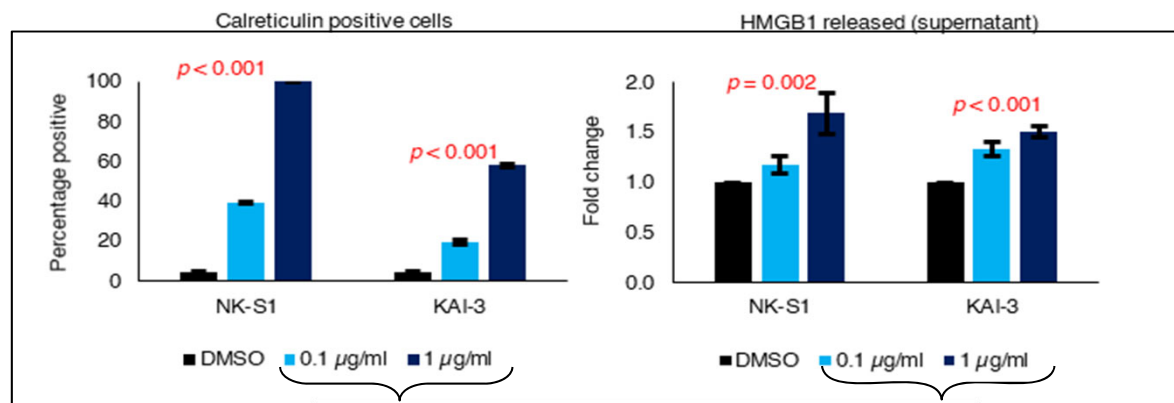
SymBio

- EBVの有無にかかわらず、BCVはNK/T細胞リンパ腫に対して強い抗ガン活性を示した
- BCVはDNA損傷によるSTING経路および免疫関連シグナルを活性化し、免疫療法(ICI)との併用の可能性が示唆された

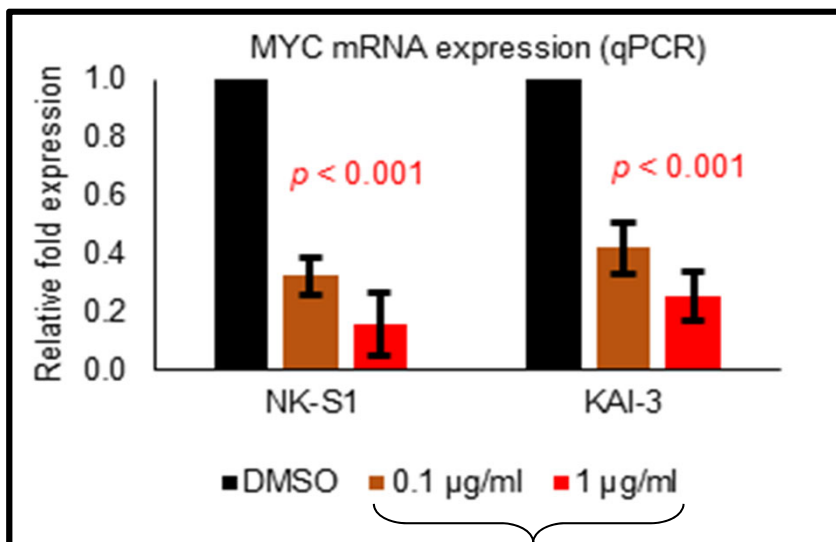
腫瘍量



下段: プリンシドフォビル投与群



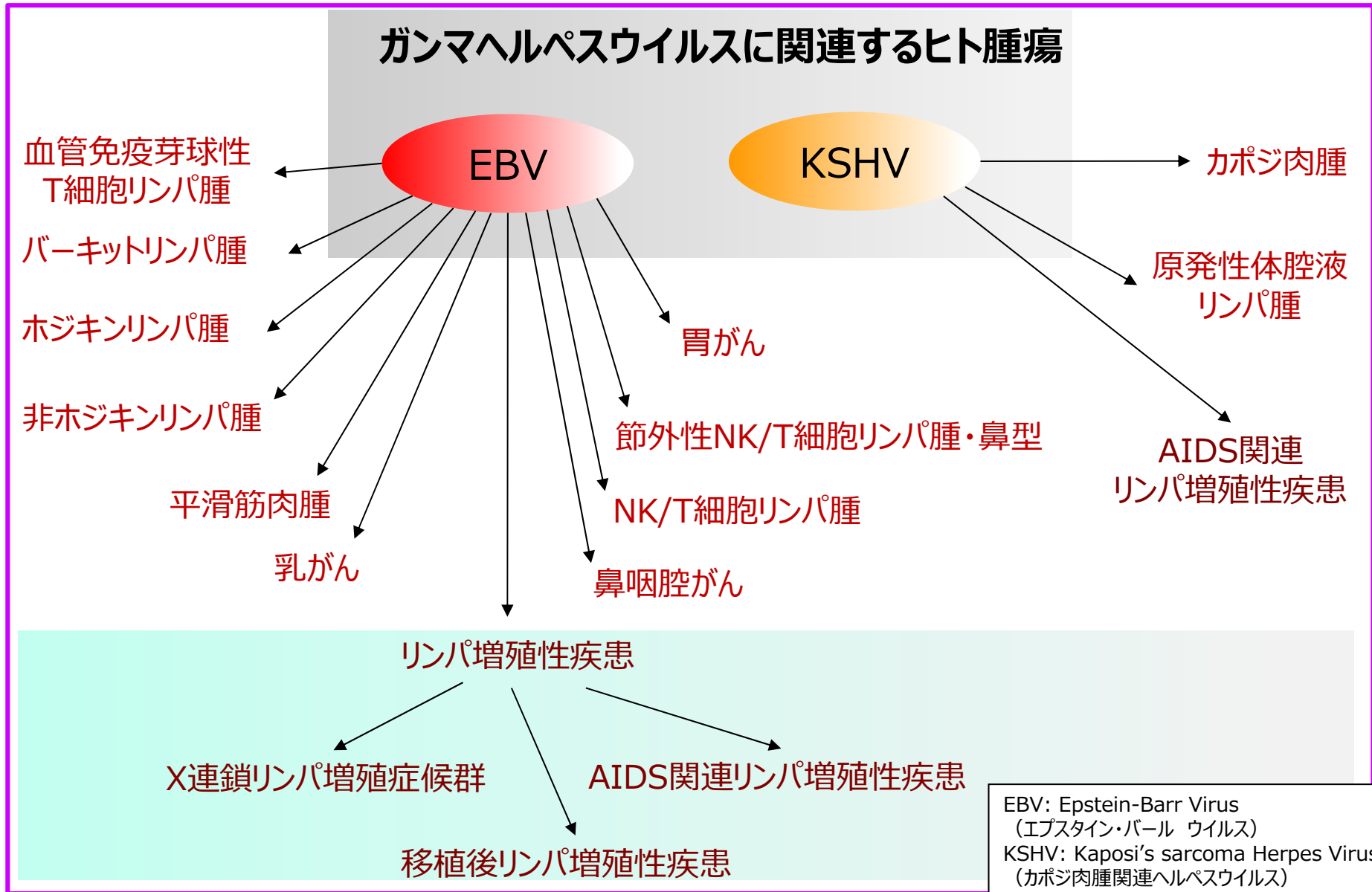
プリンシドフォビル処理



プリンシドフォビル処理

- 癌原遺伝子Mycの発現抑制効果を示唆
- 免疫チェックポイント阻害(ICI)との併用の可能性
- 悪性リンパ腫のみならず、固形がんを対象とした開発の可能性

EBV感染リンパ腫とがん腫 極めて広範囲 → 多くは難治性、「空白の治療領域」



Jha, Hem Chandra et al. (2016) The Role of Gammaherpesviruses in Cancer Pathogenesis. *Pathogens* vol. 5(1);18 を基に改変

ウイルス感染症との **境界線領域疾患** の事業化 プラットフォームの構築

ウイルス感染症との合併症疾患の病因は、複合的であり、2つ以上の異なる疾患領域をまたぎ、未解明の部分が多く、現在、有効な治療方法はない

“空白の治療領域”

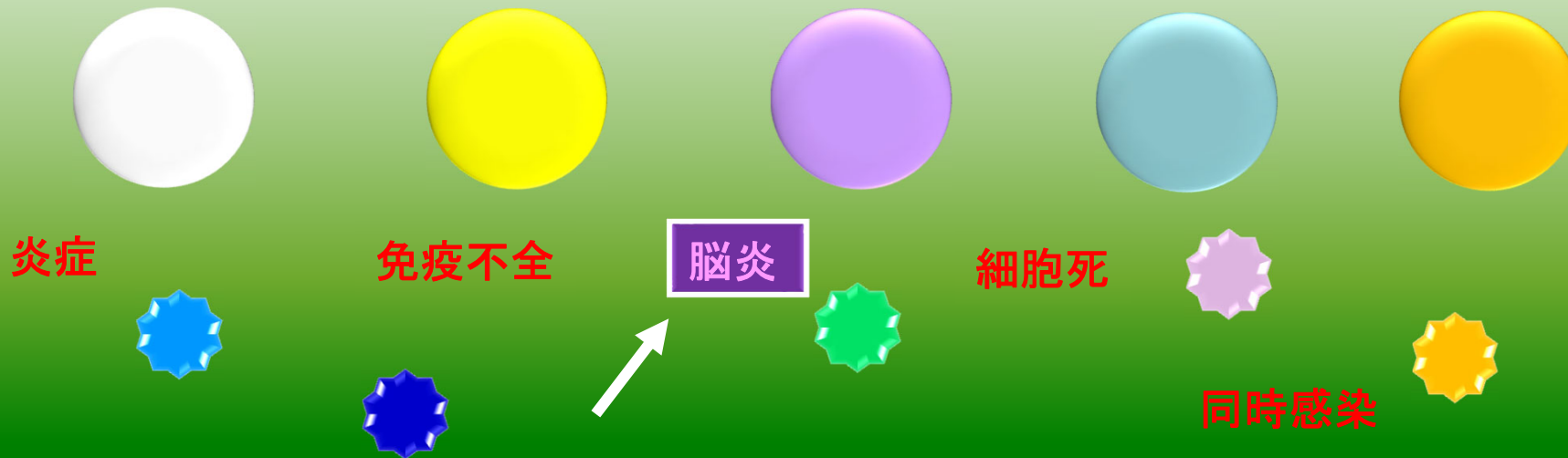
◆ 造血幹細胞移植
◆ 臓器移植

◆ 血液腫瘍
◆ 固形がん

◆ 脳神経
◆ 自己免疫

◆ 眼科

◆ 皮膚科



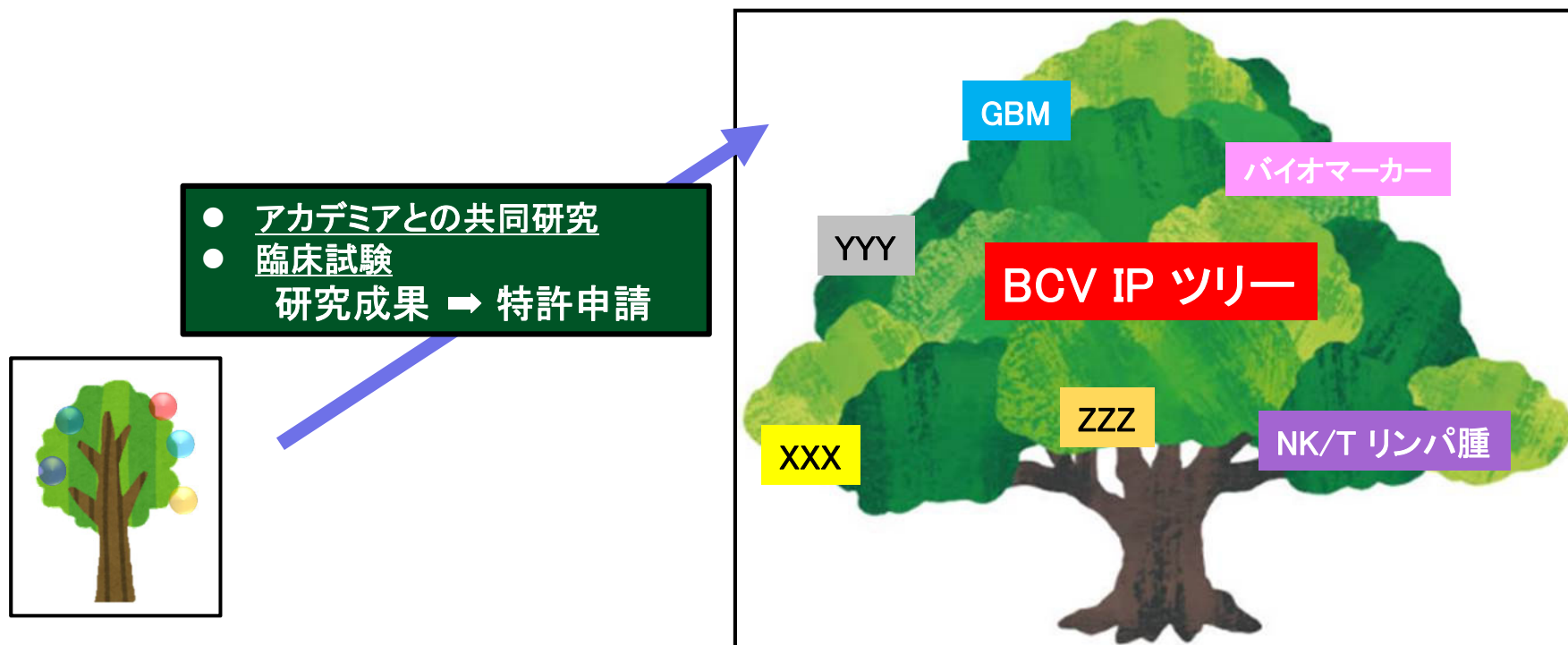
IPポートフォリオ戦略

“IPツリーの成長 = BCVの事業価値の増大”

SymBio

- ① ウイルス感染関連の疾患領域において、**先制的特許戦略** の展開
- ② **創薬バリューチェーンの上流から下流に至るすべてのプロセス**で事業価値の創造
- ③ IPポートフォリオ戦略チームを置き、CSO主導による社内組織横断チーム（探索評価・経営戦略・法務）と、日米の特許エキスパートのチームによる取り組み

BCVのIPツリーの事業価値の最大化

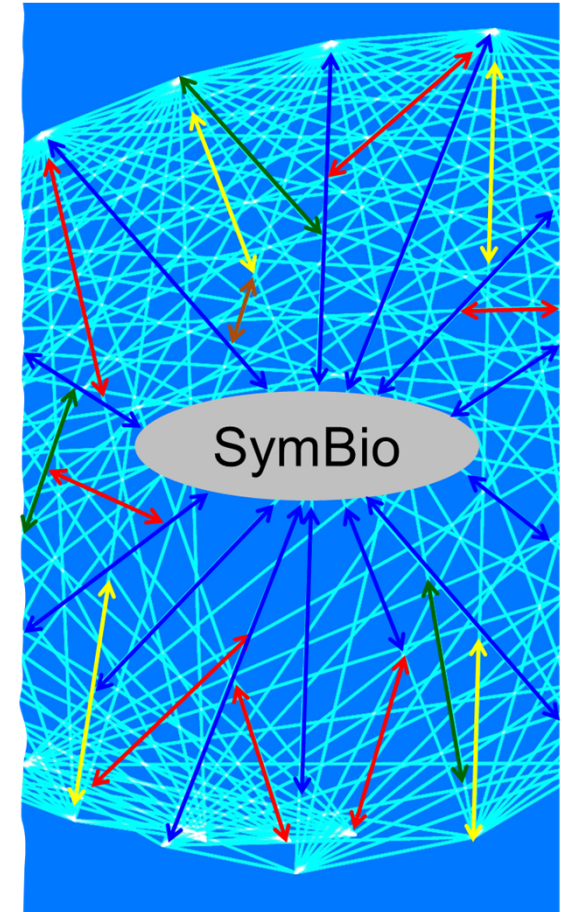


Institute of AI Biosciences (IOAB)研究所 を設立 シンバイオ独自 **AI新薬の探索システム構築** に成功



- 現有製品の適応拡大の可能性の評価
- 未充足の医療ニーズの検討
- 新規薬剤の探索・評価

- 卓越した独自の創薬開発モデル
- 最先端論文のAI解析により、世界中の英知を即時に集結
- 世界の最先端研究所と同水準の情報収集(GMSI*)を可能とし、自社開発プラットフォームに導入



* : Global Medical & Science Information(当社開発)

2023年度2H ~ 2024年度 キー・マイルストーン

- 1 SPUの経営基盤の確立⇒ グローバル事業展開の推進
- 2 BCV: AdV試験P2終了⇒ グローバルP3試験開始
- 3 BCV: 移植後のCMV試験1b(米国)の開始
- 4 BCV: 脳腫瘍の臨床試験1b(グローバル)の開始
- 5 BCV: NIH/NINDSとの多発性硬化症のFIHの判断
- 6 日本事業: ① トレアキシン[®] 売上高50億円の達成、
② 新規薬剤の導入、 ③BCVの国内AdV試験開始

SymBio Pharma USAのCEO兼社長（兼本社執行役員） Stephane Berthier氏を採用

【SPUの新たな使命】

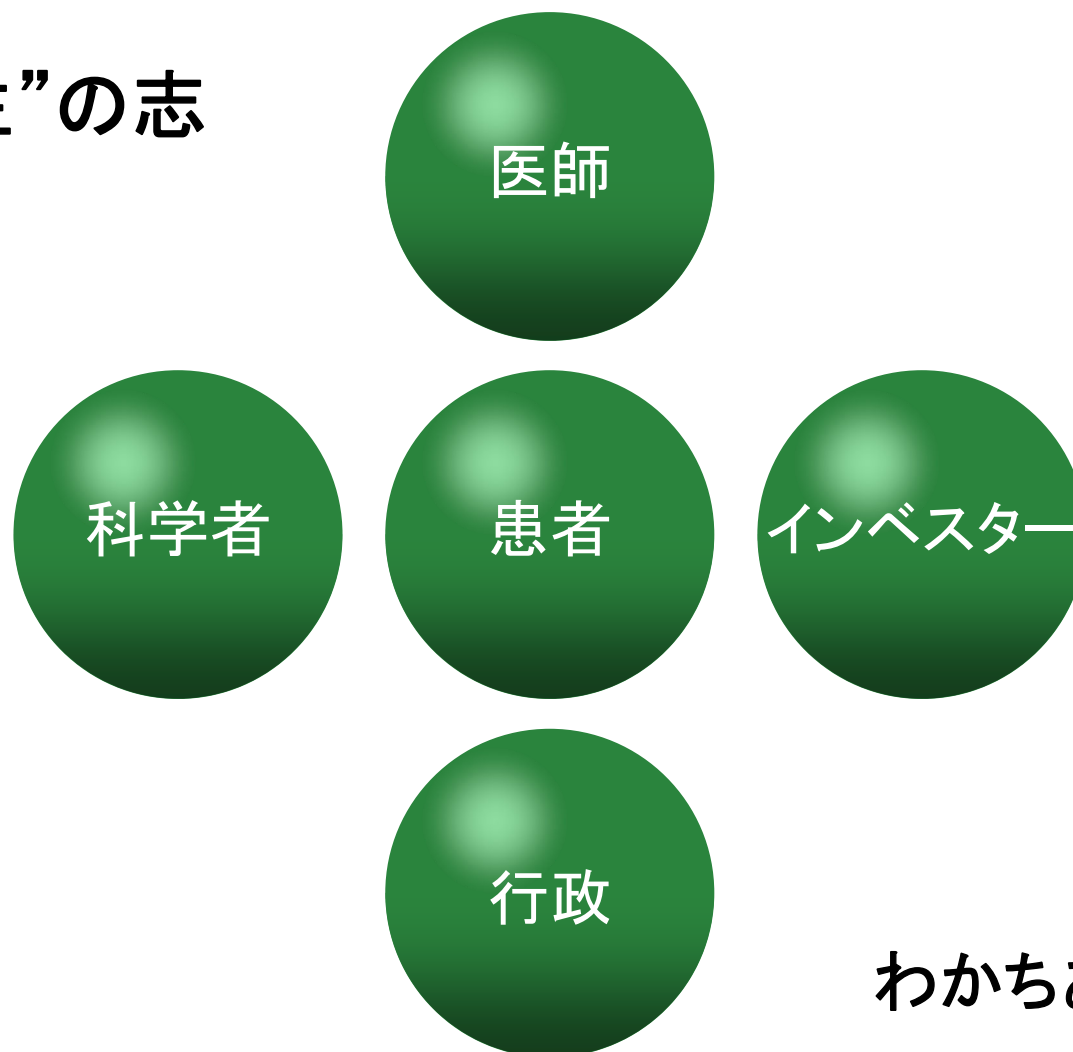
- BCVのグローバル事業化に向け、開発・商業化を主導
- グローバル事業展開のためのインフラ組織の構築
- グローバル市場における人材の確保、及び資金調達



- ノバルティスファーマの中央研究所からスタートし、ヤンセンファーマ(J&J)において、主に血液腫瘍・がん領域の豊富な開発・営業経験と実績
- グローバル製品、2品目 (Imatinib, Iburutinib)にかかわり、グローバル事業を主導
- 米国市場における営業体制構築の経験

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