

*Delivering hope
to patients in need*

シンバイオ製薬株式会社

2023年度
決算説明会

2024年2月13日



目次

第1部：2023年度決算概要	3
第2部：2024年度通期見通し	7
第3部：事業戦略の展開	18

第1部：2023年度決算概要	3
第2部：2024年度通期見通し	7
第3部：事業戦略の展開	18

2023年度 損益計算書

2023年度
決算概要

2023年度 業績ハイライト

- 売上高は55.9億円（前年比44.1%減）：ジェネリックの浸透及び薬価下落の影響
- 売上総利益は44.1億円（前年比42%減）：売上総利益率は78.9%(前年比3%)に改善
- 販売費及び一般管理費は52.2億円（前年比7.3%減） 研究開発費はBCV開発費増のため26.4億円（前年比3.3増）
- 営業損益は8.1億円の損（27.8億円減）：売上総利益の減少、及び販売及び一般管理費の減少
- 当期純損益は19.6億円の損（31.4億円減） 特別損失5.6億円（建物・工具器具及び備品・ソフトウェア・敷金の減損）
- 繰延税金資産取り崩し・法人税等調整額（7.4億円の損を計上）

(単位：百万円)	2023年度 実績	2022年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	5,589	10,008	△ 4,418	-44.1%
製品売上	5,589	10,008	△ 4,418	-44.1%
売上原価	1,178	2,408	△ 1,229	-51.1%
売上総利益	4,411	7,599	△ 3,188	-42.0%
販売費及び一般管理費	5,222	5,636	△ 413	-7.3%
研究開発費	2,638	2,554	83	3.3%
営業損益	△ 811	1,963	△ 2,775	-
当期純損益	△ 1,962	1,179	△ 3,142	-

(単位：百万円)

※金額は単位未満を切り捨てて表示



2023年度 貸借対照表

2023年度
決算概要

2023年度 業績ハイライト

- 流動資産は80.8億円（前年比12.3億円減）現金及び預金は65.2億円（2.3億円増）
- 資産合計は81.7億円（前年比22.6億円減）
- 社屋移転等による固定資産の減損により、10.3億円減
- 第三者割当（EVO FUND（注））を実施し、6.9億円を調達
- 自己資本比率は、88.3%（前年比6.7%向上）

（単位：百万円）	2023年12月末	2022年12月末	増減
流動資産	8,082	9,312	△ 1,230
現金及び預金	6,517	6,282	234
固定資産	87	1,120	△ 1,032
資産合計	8,170	10,433	△ 2,263
流動負債	956	1,923	△ 967
固定負債	3	3	0
純資産（株主資本等）	7,209	8,506	△ 1,296
負債純資産合計	8,170	10,433	△ 2,263

（単位：百万円）

※金額は単位未満を切り捨てて表示

（注） 割当先のEVO FUNDは、上場株式への投資を目的として2006年12月に設立されたファンド（ケイマン諸島法に基づく免税有限責任会社）であります。割当先の保有方針割当予定先は、純投資を目的としております。

後発医薬品への対応

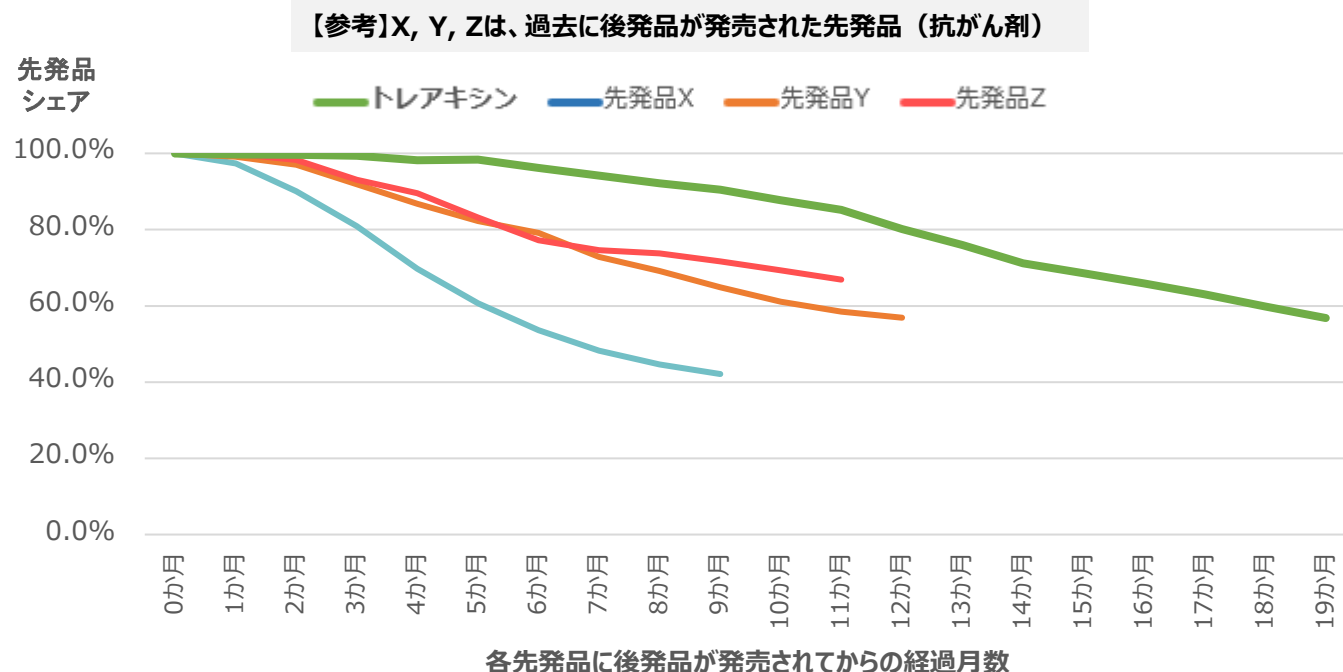
2022年2月

- 当社製品トリアキシンRTD製剤を先発医薬品とする後発医薬品の製造販売承認を4社が受け、内2社が後発医薬品の販売開始

2022年12月

- 当該製品のライセンス元イーグル社と共同で、ファイザー株式会社及び東和薬品株式会社に対して、特許権侵害に基づく後発医薬品の製造販売の差止及び損害賠償請求の提訴

他剤との比較：先発品（トリアキシン）のシェア推移（発売後からの期間）



引用：外部データ

トリアキシン市場と対応

【ベンダムスチン市場及びシェア】

標準療法でもあることから、FL NHL及びr/r DLBCL市場において根強いユーザーがいる

【最新情報提供の充実】

KOL及び全国の血液内科医療従事者と広範なネットワークを構築。ブランド企業として、DXを活用した定期的なセミナー開催などネットワークをフルに活用し情報提供を継続

【確認された安全性】

日本人患者（38症例）の臨床試験を実施、さらに、イーグル社が行った米国臨床試験の安全性データと合わせ承認取得

第1部：2023年度決算概要	3
第2部：2024年度通期見通し	7
第3部：事業戦略の展開	18

2024年度 通期業績予想

2024年度
通期見通し

2024年度 通期業績予想のハイライト

- 売上高は36.4億円（35%減）：4月の薬価切り下げとジェネリックの浸透を見込む
- 売上総利益は27.9億円（36.8%減）：売上減少と薬価下落の影響
- 販管費は56.2億円（前年比7.7%増） 研究開発費はBCV開発本格化し、21.6%増の32.1億円を見込む
- 営業損益は28.4億円の損失（20.3億円減）
- 当期純損益は28.7億円の損失（9.1億円減）

(単位：百万円)	2024年度 業績見通し(注)	2023年度 実績	前年比増減	増減率 (%)
売上高	3,641	5,589	△ 1,948	-34.9%
製品売上	3,641	5,589	△ 1,948	-34.9%
売上原価	855	1,178	△ 323	-27.5%
売上総利益	2,787	4,411	△ 1,625	-36.8%
販売費及び一般管理費	5,624	5,222	401	7.7%
研究開発費	3,208	2,638	569	21.6%
営業損益	△ 2,837	△ 811	△ 2,026	-
当期純損益	△ 2,870	△ 1,962	△ 907	-

(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

(注) 2023年度予想為替レート：¥141.83/\$



注射剤 BCVの 抗ウイルス活性のPoC を確立

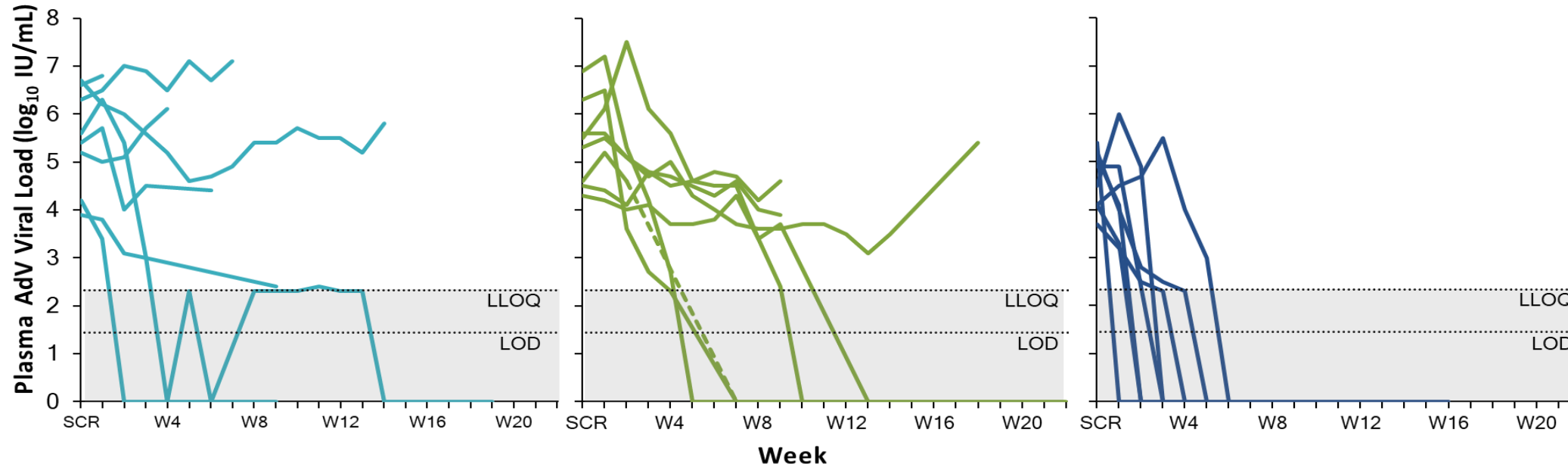
2023 ASH(米国血液学会) Oral Presentation by Dr. Michael Grimley

2024年度
通期見通し

Cohort 1 (IV BCV 0.2 mg/kg)

Cohort 2 (IV BCV 0.3 mg/kg)

Cohort 3 (IV BCV 0.4 mg/kg)



Title “Preliminary Results of a Phase 2a Clinical Trial to Evaluate Safety, Tolerability and Antiviral Activity of Intravenous Brincidofovir (BCV IV) in Immunocompromised Patients with Adenovirus Infection”

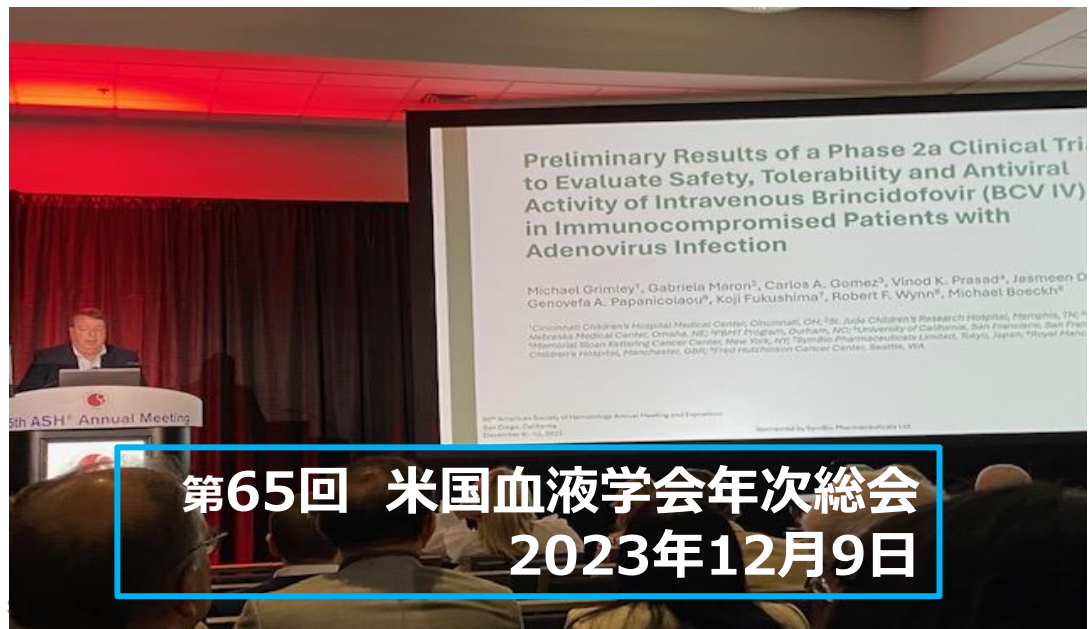
Session Name: PEDS-04 - (PEDS) **Pediatric Best Abstracts**

Session Date: Wednesday, February 21, 2024

Room: Henry B. Gonzalez Convention Center

米国2024年 Tandem Meeting (2月21日予定)

**50回 欧州骨髄移植学会 (EBMT、4月英国グラスゴー開催)
Oral Presentation に採択確定**

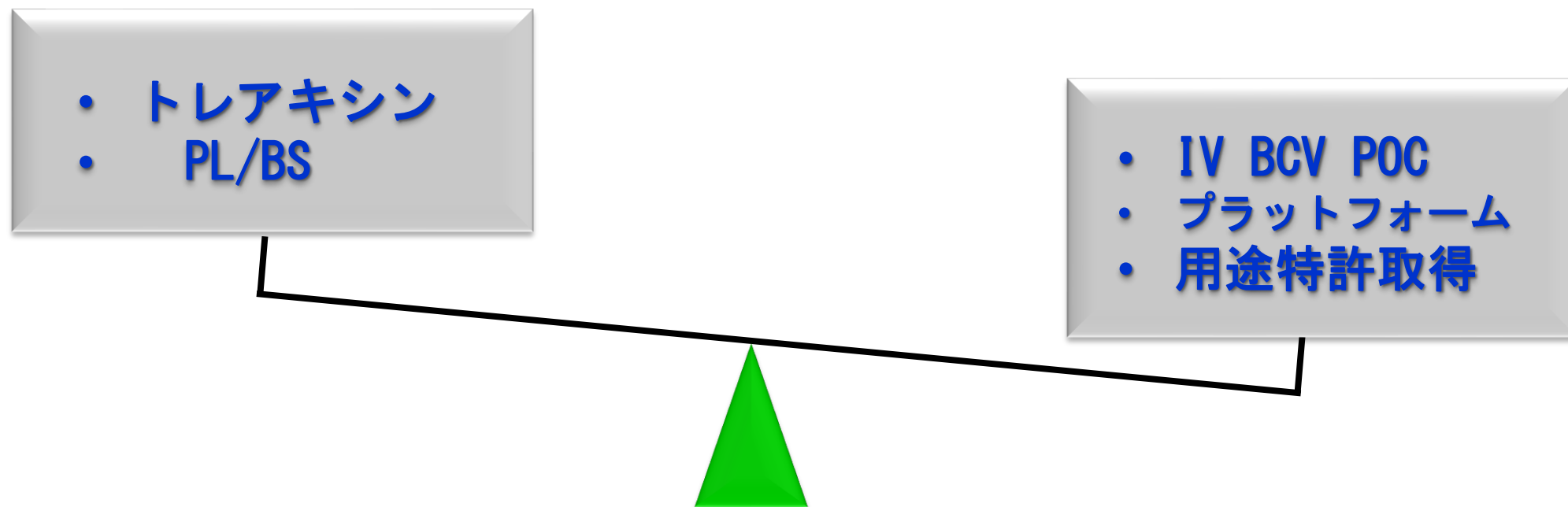


注射剤BCVの **POC** → 基本的事業仮説が**形**となり実証された
”ターニングポイント“

- 
- トレアキシシン
 - PL/BS

- IV BCV POC
 - プラットフォーム
 - 用途特許取得
- 

注射剤BCVの **POC** → 事業価値の実証 ” 事業の転換点”

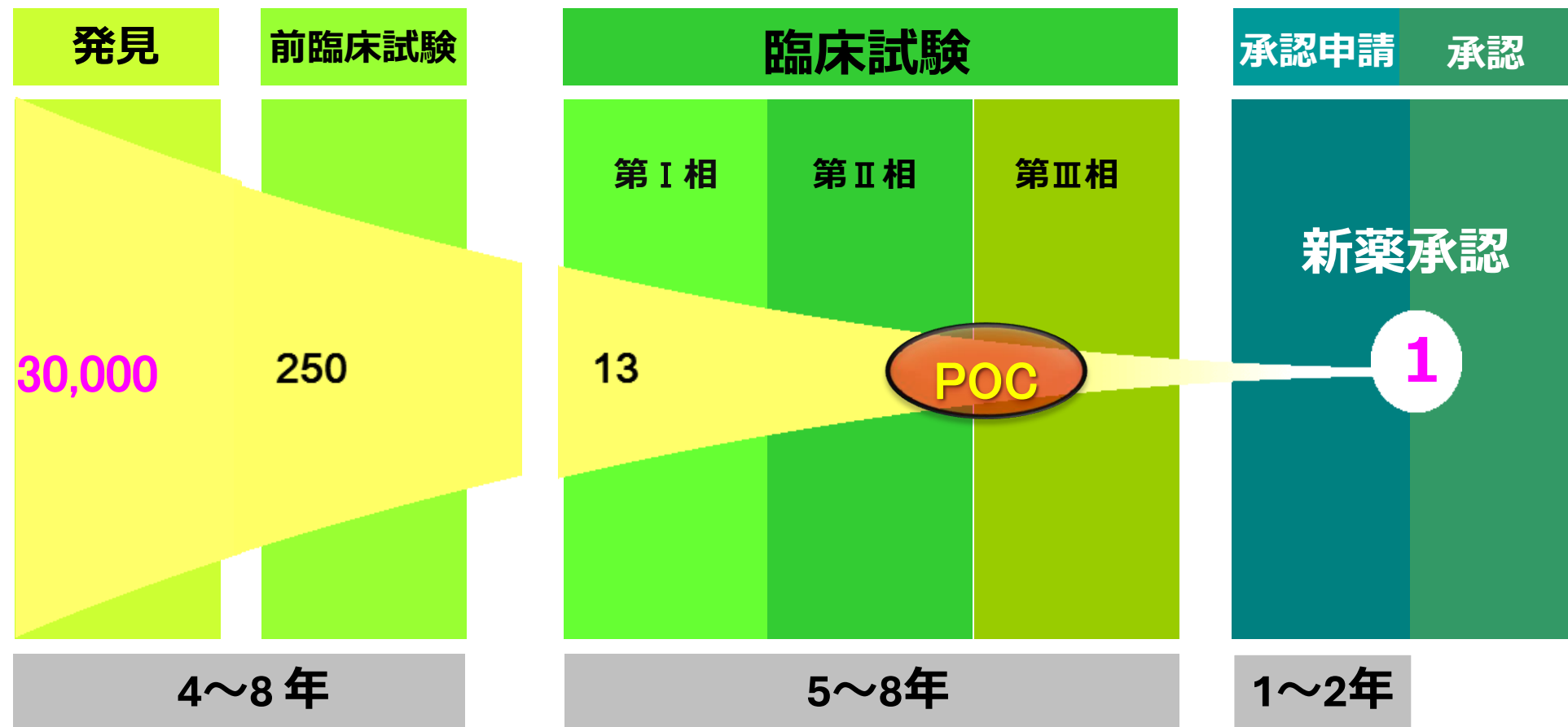


→ **パイプライン価値を重視した事業展開に移行**

医薬品開発において、POCの確立が意味するもの

→ 開発及び事業のリスクの軽減 (De-risking)

2024年度
通期見通し



POCの確立 → → → 事業のターニングポイント "事業の転換点"

2024年度
通期見通し

開発品目数

30,000

事業価値

1

25,000

20,000

15,000

10,000

5,000

0

4~8

250

13

POC

6~7

1~2 (年数)

新薬の候補品の発見

前臨床試験

第I相

臨床試験

第II相

第III相

承認

承認申請

昨年12月の米国血液学会におけるIV BCVのPOCデータの発表により、
➔ **IV BCVのPOCデータの情報が広まり、問い合わせ事例が増加**

2024年度
通期見通し

この年末年始、シンバイオ製薬に直接連絡があり、IV BCVの投与に至った事例

- ・ **米国** アトランタ小児ヘルスケア病院： 10代の小児（2023年12月）
- ・ **オーストラリア** クイーンズランド小児病院： 2才の幼児（2024年1月）
- ・ **カナダ** トロント大学医学部病院： 2才の幼児（2024年1月）

この3人の患者さんは、**免疫不全状態のアデノウイルス感染症**に対して、
2つの治療がいずれも無効であったため治療の選択肢が無く、
➔ **IV BCVを求めて、主治医から連絡があった**

➔ **【人道的使用】 シンバイオは、迅速に、グローバル各国の規制当局
と調整し供給手配をし、患者さんの元に届き投与した**

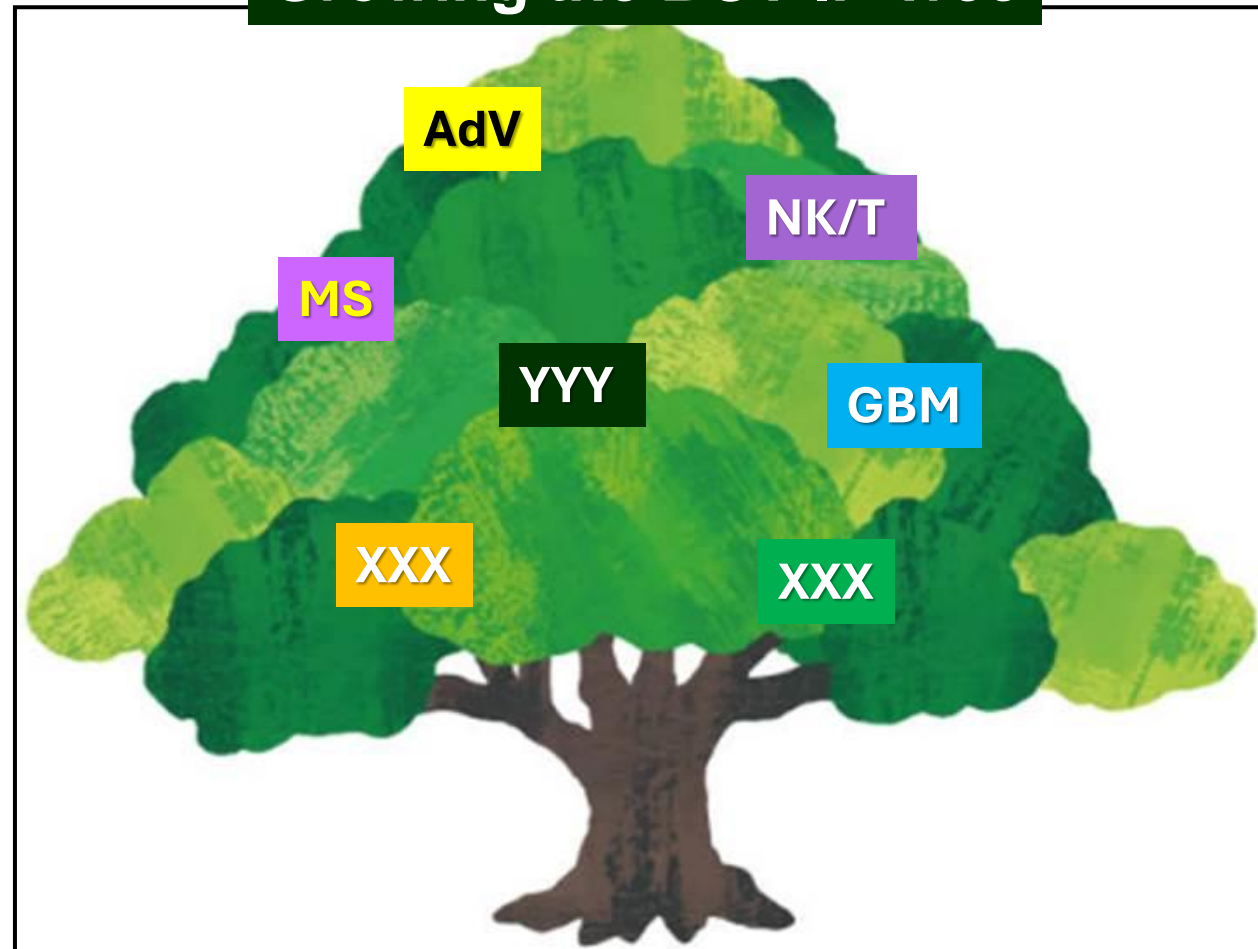
Compassionate Use: 「人道的使用」と呼ばれることもあるアクセスの拡大は、重篤な、または生命を脅かす疾患や状態の患者が、同等または満足のいく代替療法の選択肢がない場合に、臨床試験以外の治療のために治験薬(医薬品、生物学的製剤、または医療機器)にアクセスするための潜在的な経路です。

(U.S. Food & Drug Administration)

早期審査対象で出願(2023/9) → 僅か4ヶ月で 用途特許成立

- 用途特許は、2043年まで有効
- BCV開発のプラットフォーム化の基盤
- 多くは手付かずの“空白の治療領域” → IPの宝庫

Growing the BCV IP Tree



“ファーストムーバー
アドバンテージ”

2023年度の事業成果 → “事業の転換点”

2024年度
通期見通し

- 1 注射剤BCVの **POC*** を確立
- 2 アメリカ国立衛生研究所（NIH）と2つの**CRADA**（共同研究開発契約）を締結
- 3 主要学会において、**3つの研究開発の成果** を発表**
- 4 **製品売上55.9億円**（対前年比44.1%減、対計画比99.8%）
- 5 事業の**グローバル化** の進展（SPUの経営体制の再構築）
- 6 注射剤ブリンシドフォビル **用途特許** を取得（24年1月）

* POC: Proof of Concept

**

- ① 第17回国際リンパ腫会議
- ② 第9回 ECTRIMS-ACTRIMS合同学会
- ③ 第65回米国血液学会

IV BCV 開発事業

時期	臨床試験
Q2	AdV FDAとの EOP2 Meeting
Q2	AdV EMAとの SA Meeting
Q2	CMV 第Ⅱ相臨床試験開始 FPI
Q4	AdV グローバル第Ⅲ相試験開始 FPI

時期	非臨床試験
Q3	シンガポール国立がんセンター 研究結果報告
Q3	NIH/NINDS MS動物モデル実験結果報告
Q4	タフツ大学 共同開発結果 報告

事業開発 (パートナーング・新規導入品)

時期	事業開発
Q3	日本市場向け新規ライセンス導入
Q3	BCV のパートナーング交渉開始

2025年度にFIH試験を計画

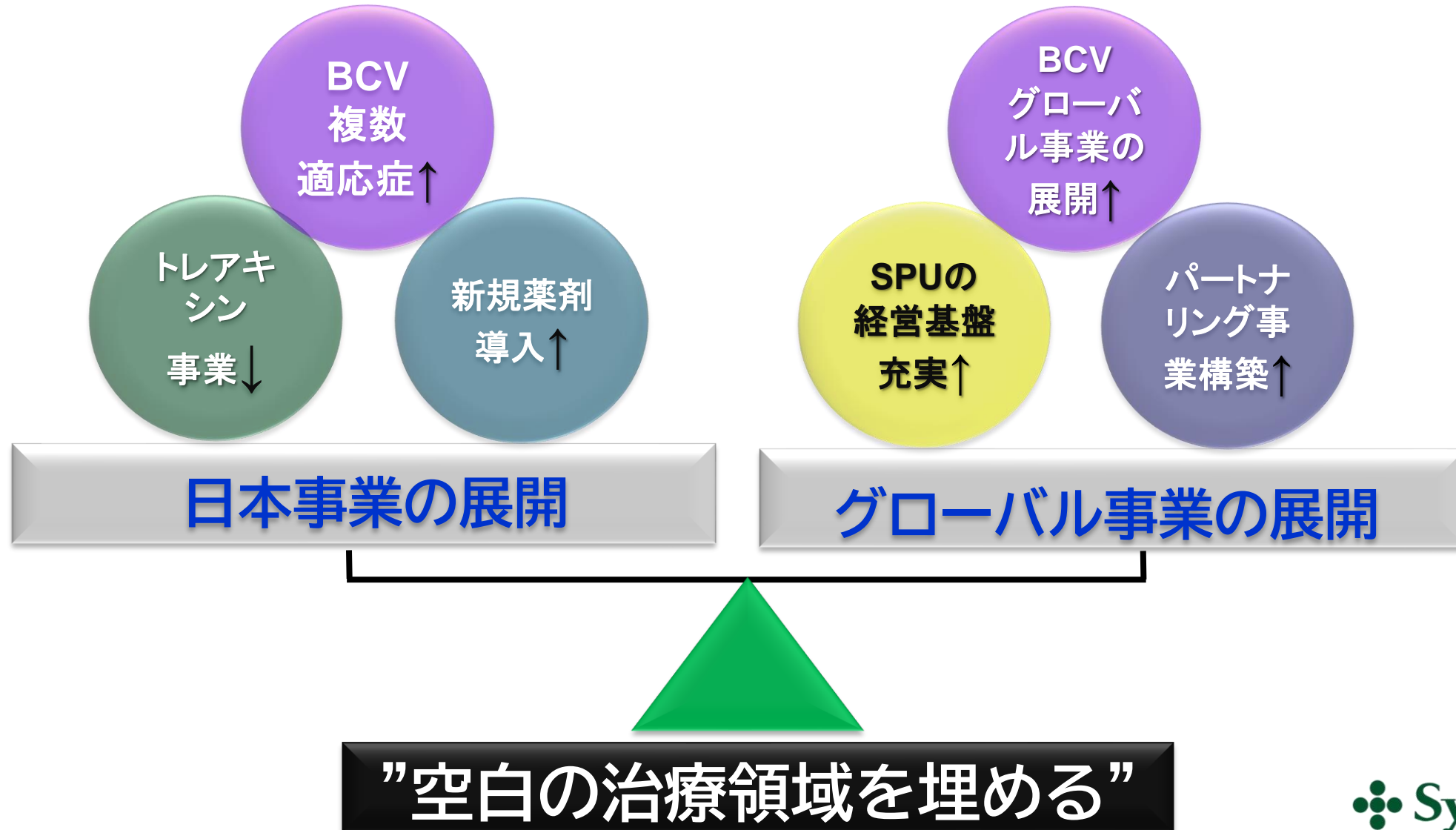
目次

第1部：2023年度決算概要	3
第2部：2024年度通期見通し	7
第3部：事業戦略の展開	18

着実に進展する2030年に向けた 戦略的取り組み

①事業のグローバル化 ②3つの治療領域の取組み ③パートナーリング

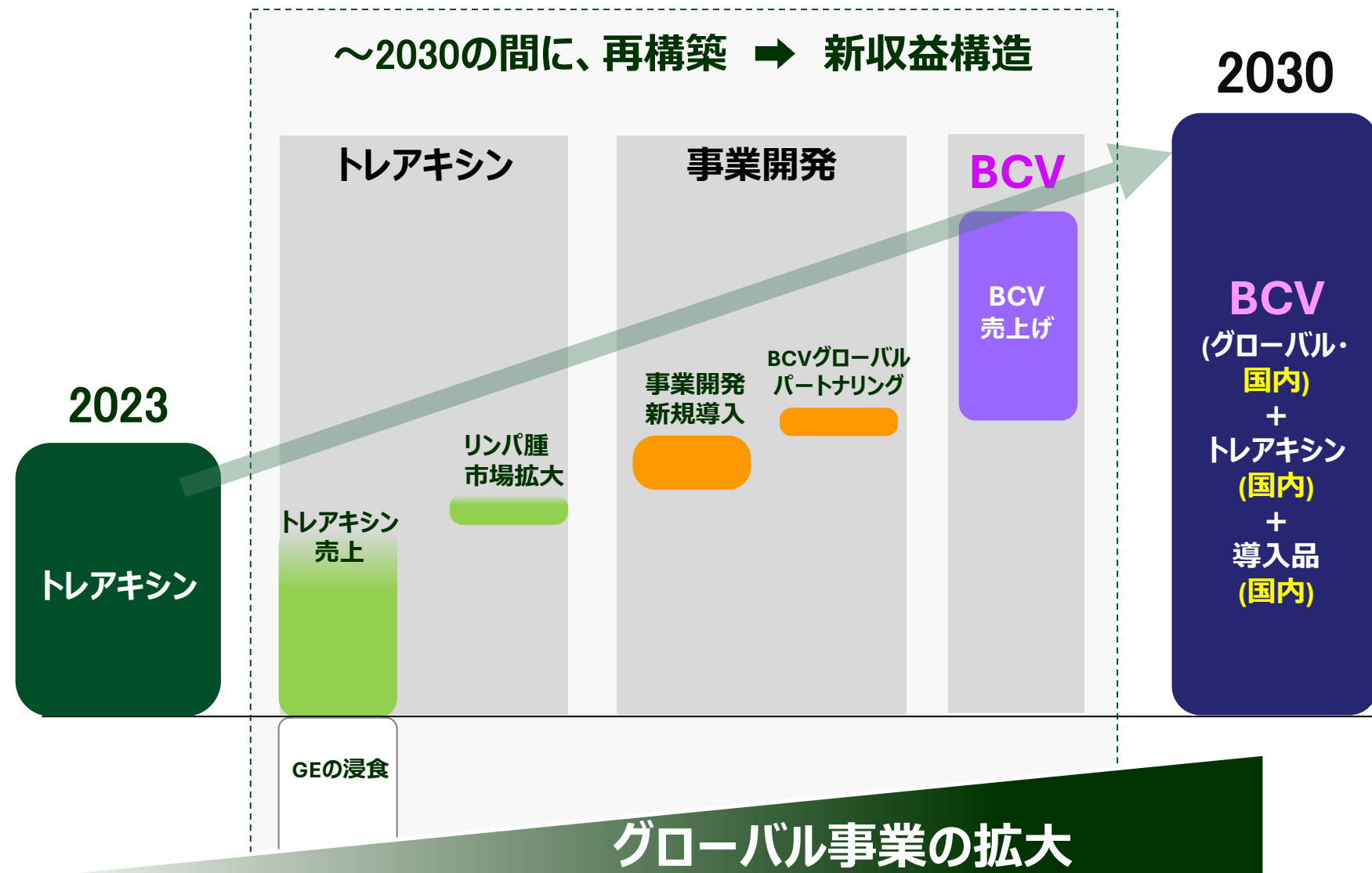
事業戦略の
展開



2030年に目指すは

日本とグローバルの売上比率 50:50

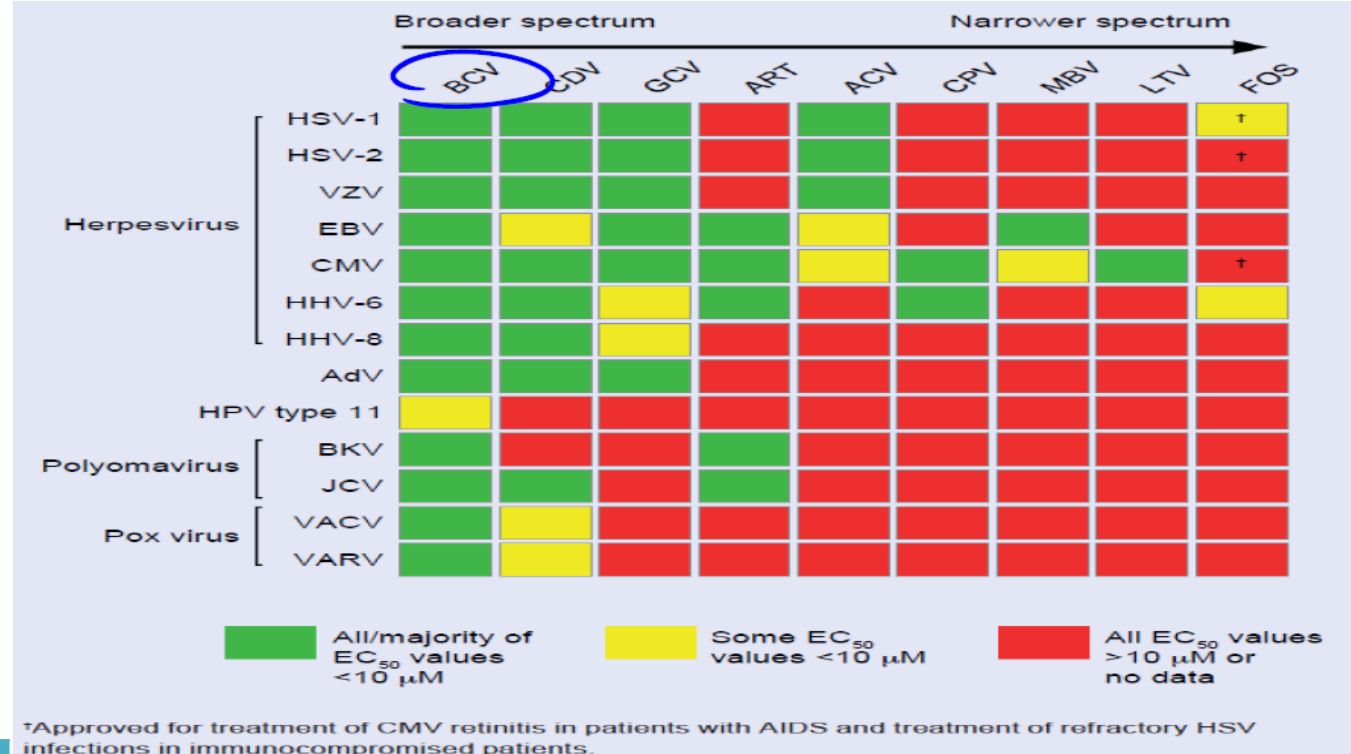
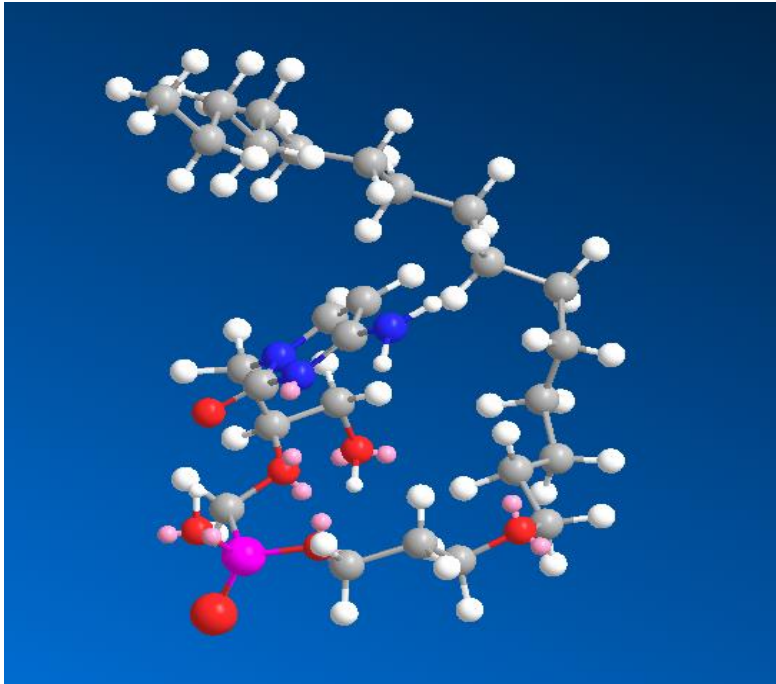
事業戦略の
展開



"ゲームチェンジャー潜在力" をもつ ブリンシドフォビル (BCV)

比類なき抗ウイルス活性 plus 広域スペクトラム

事業戦略の
展開



抗ウイルス活性 IC₅₀ (μM)

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

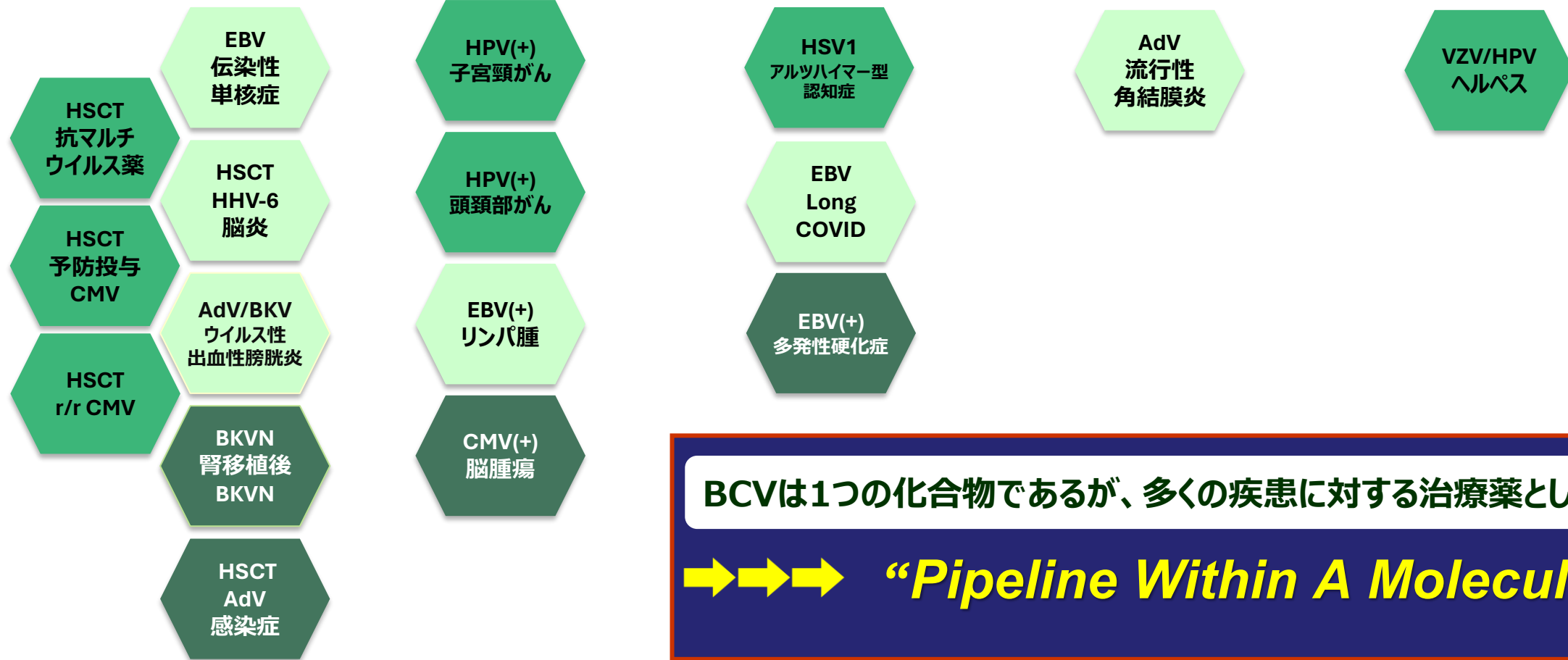
C_{max} after oral 100 mg BCV: 0.445 μM

→→→ "Pipeline Within A Molecule"

“ゲームチェンジャー潜在力” をもつ BCV

事業戦略の
展開

ひとつの薬剤で、複数の治療領域 事業化のポテンシャル... 稀有の薬剤



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

→→→ “Pipeline Within A Molecule”

成果を生み始めた シンバイオの研究戦略

世界の知を取り込む、最高峰の研究グループとの共同研究を推進

事業戦略の
展開

移植後感染症



ペンシルベニア州立大学
ポリオマウイルス

BKVN

血液腫瘍・がん領域



CRADA

NIAID国立感染症・アレルギー研究所 PTLD
EBウイルス: リンパ増殖性疾患



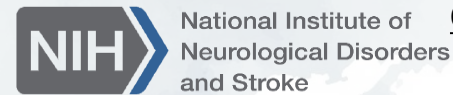
カルフォルニア大学サンフランシスコ校 GBM
膠芽腫



シンガポール国立がんセンター
EBウイルス: リンパ腫

NK/T
細胞
リンパ腫

脳神経変性疾患



CRADA

NINDS国立神経疾患・脳卒中研究所 MS
EBウイルス: 多発性硬化症



Tufts University
HSV-1: アルツハイマー型認知症

MS

AD

→→→ 臨床試験開始に向けて、質の高いデータの蓄積を目指す

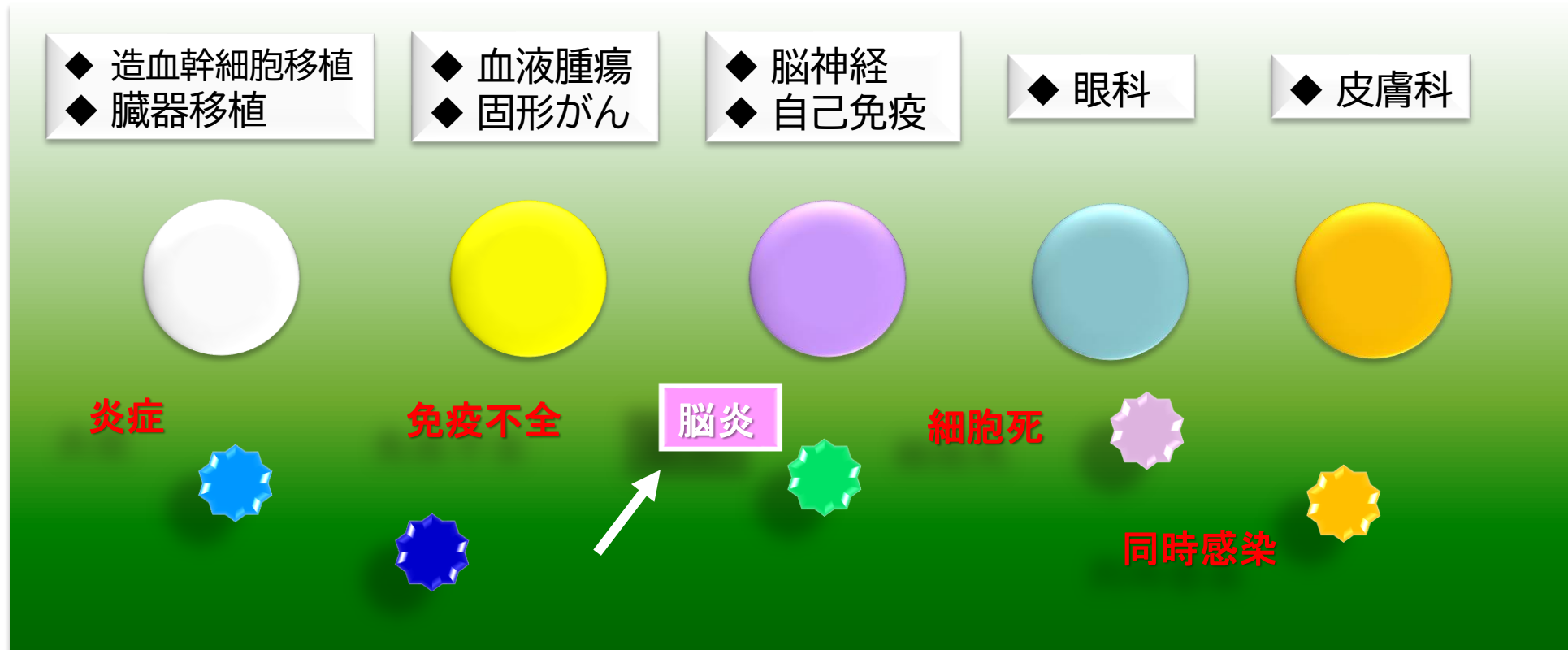
ウイルス感染症との 境界線領域疾患 の事業化

BCVによるプラットフォーム事業の構築

事業戦略の
展開

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”



注射剤 BCVの 抗ウイルス活性のPoC を確立

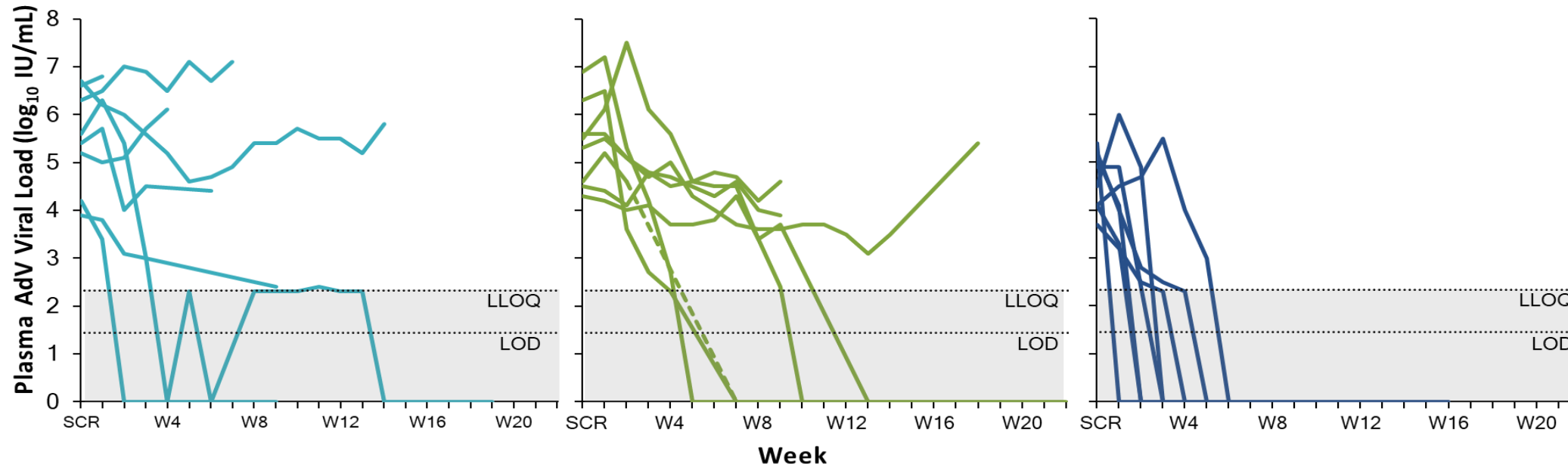
2023 ASH Oral Presentation by Dr. Michael Grimley

事業戦略の
展開

Cohort 1 (IV BCV 0.2 mg/kg)

Cohort 2 (IV BCV 0.3 mg/kg)

Cohort 3 (IV BCV 0.4 mg/kg)



Title “Preliminary Results of a Phase 2a Clinical Trial to Evaluate Safety, Tolerability and Antiviral Activity of Intravenous Brincidofovir (BCV IV) in Immunocompromised Patients with Adenovirus Infection”

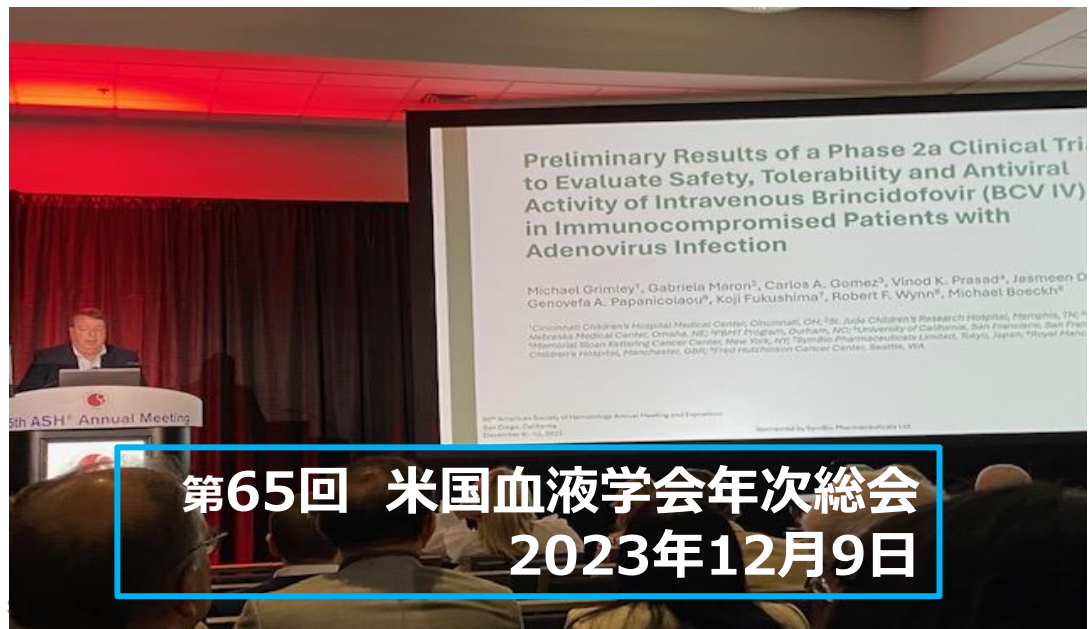
Session Name: PEDS-04 - (PEDS) **Pediatric Best Abstracts**

Session Date: Wednesday, February 21, 2024

Room: Henry B. Gonzalez Convention Center

米国2024年 Tandem Meeting (2月21日予定)

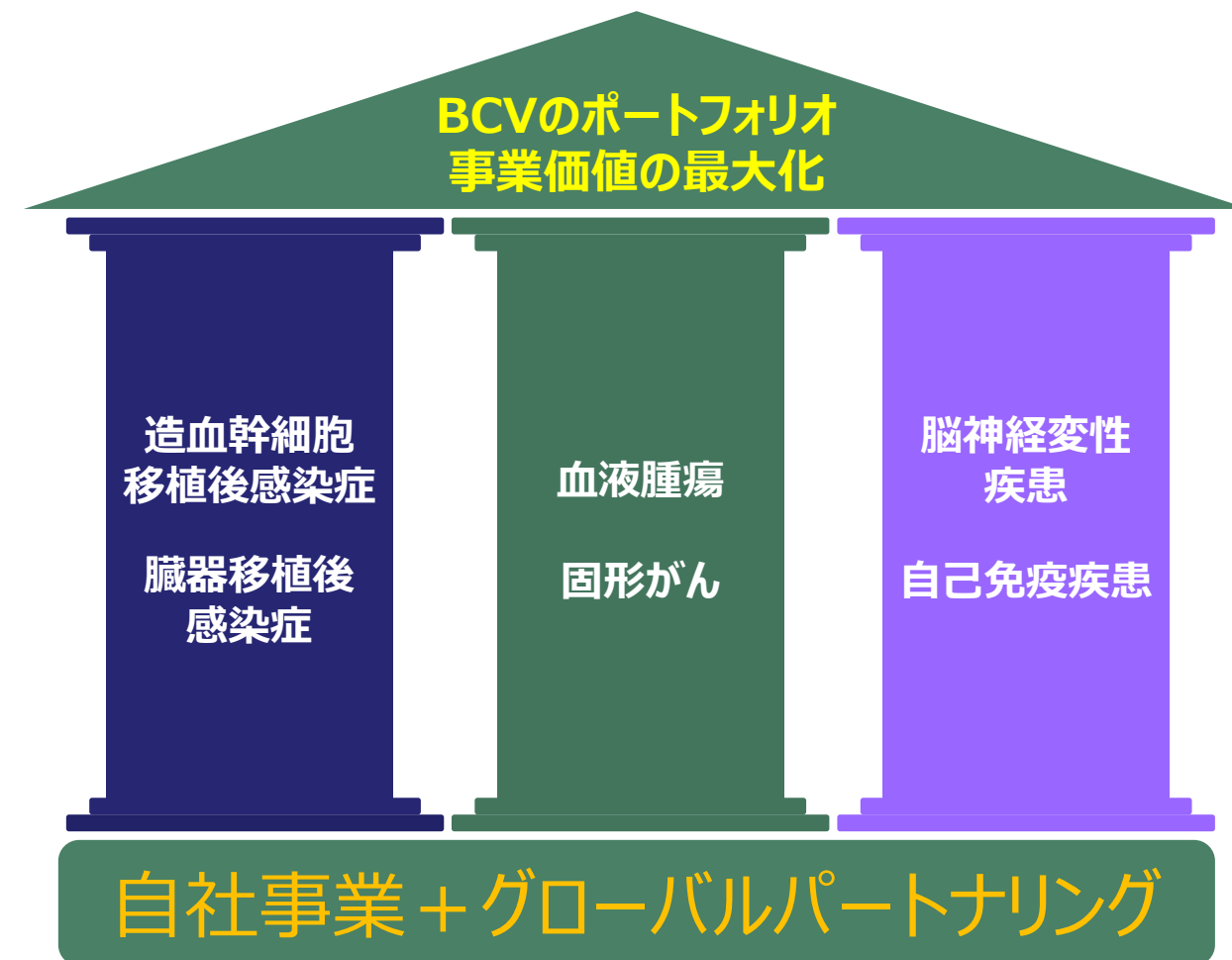
**50回 欧州骨髓移植学会 (EBMT、4月英国グラスゴー開催)
Oral Presentation 採択確定**



第65回 米国血液学会年次総会
2023年12月9日

プラットフォーム化のための7つの**KSF**

- ◆ 比類なき抗ウイルス活性
- ◆ 広域スペクトルの抗ウイルス活性
- ◆ 抗ウイルス活性のPOCの確立
- ◆ 強い抗がん活性の確認
- ◆ 手付かずの「空白の治療領域」
- ◆ 成果を生み始めたアカデミアとの共同研究
- ◆ 特許による排他的権利



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
EBVリンパ腫、GBM、HPV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

再発難治CMVの治療薬に対するニーズは極めて高い

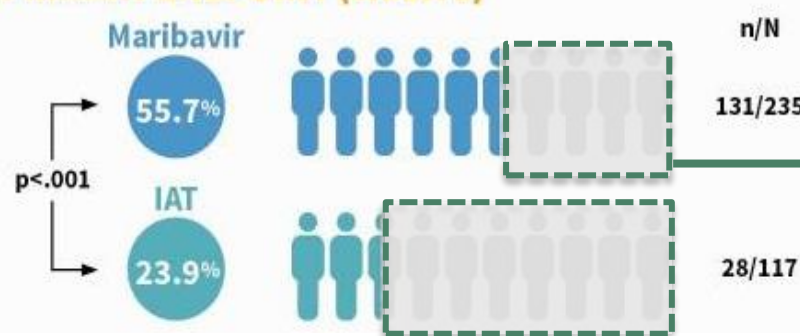
マリバビル（武田薬品）承認されるも依然として、**未充足の治療領域**

事業戦略の
展開

マリバビル 国際第Ⅲ相臨床試験

2021年11月 SOLSTICE試験：移植後の難治性・抵抗性CMV感染 FDAより承認取得

PRIMARY ENDPOINT (WEEK 8)



【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

- マリバビルを含む既存抗ウイルス薬での効果は限定的
- 毒性や抵抗性・交叉耐性獲得の可能性が課題

➔ **第Ⅱ相臨床試験 今期第2四半期に開始**

BCVの抗がん活性により、NK/T細胞リンパ腫が縮小

2022ASH(米国血液学会)で発表 国立シンガポールがんセンター Dr. Jason Chan

- 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がん活性を示した
- 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、**免疫療法との併用可能性**が示唆された



腫瘍量

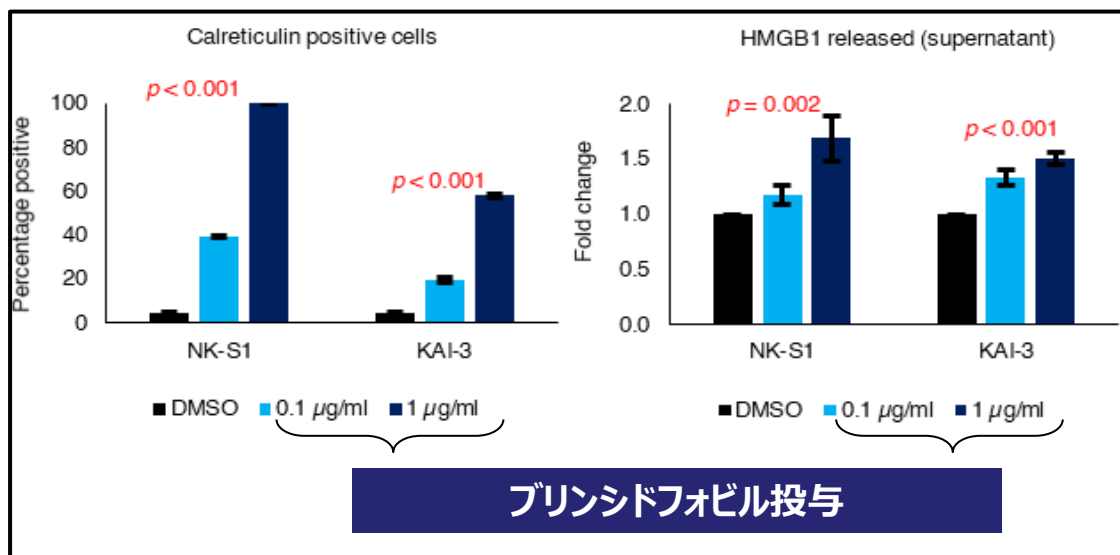
VEH
BCV



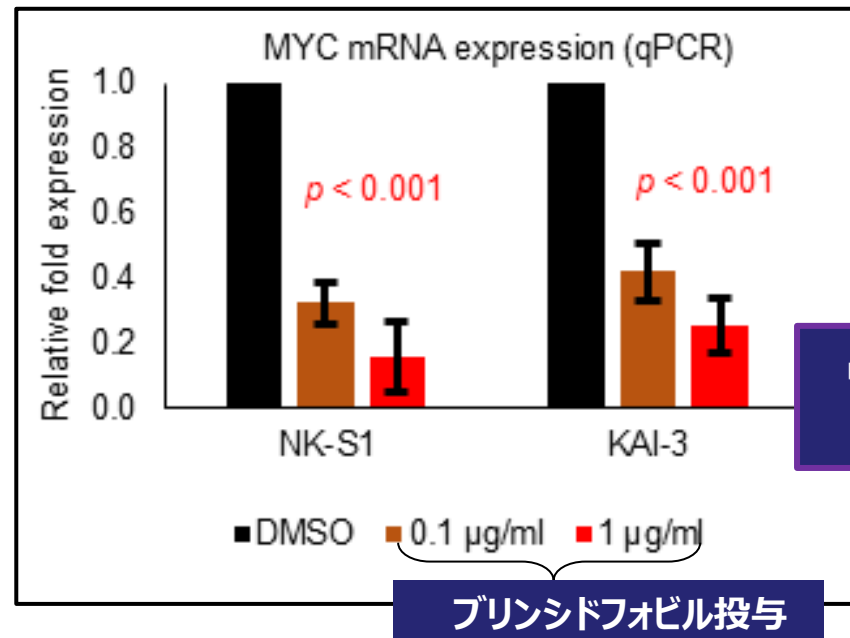
下段：プリンシドフォビル投与群



- Aggressive, EBV-associated
- Predominant in E-Asia & S-America with incidence at 3-10%



プリンシドフォビル投与



プリンシドフォビル投与

➔ MYC (がん遺伝子) の
発現抑制に関与

アメリカ国立衛生研究所と多発性硬化症に関するCRADAを締結

事業戦略の
展開

➔ EBVをターゲットとしたBCVの作用について、**欧州MS学会において研究成果を発表**

2022年1月13日	ハーバード大チーム ➔	サイエンス誌	疫学調査 “EBV感染がMSを誘引する主要原因” EBVを直接標的にすることで、新しい治療戦略が可能
1月24日	スタンフォード大チーム ➔	ネイチャー誌	EBV感染とMSの関連性の分子機序の解明
2023年1月19日	米国国立衛生研究所 (NIH) ➔	ニューロン誌	NIHによるビッグデータ解析： ウイルスとアルツハイマー・多発性硬化症の関係
2月23日～	米国MS学会 2023 ACTRIMS Forum: “MS: Going Viral”		
10月11日～	欧州MS学会 ECTRIMS ➔ CRADAによる研究成果の第一報 を発表		



“I have been very impressed how quickly we have done this. This is no doubt a reflection of a great team”

Dr. Steve Jacobson PhD
Senior Investigator,
Viral Immunology Section

CRADA: cooperative research collaboration agreement

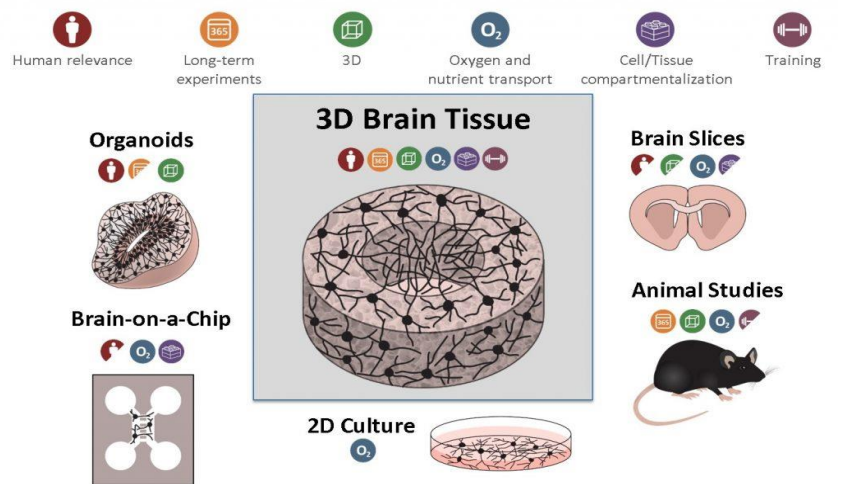
HSV-1により誘引された アミロイドβプラークの蓄積

新たな治療ターゲット アルツハイマー型認知症

事業戦略の
展開

Advantages of 3D Brain Tissue Model

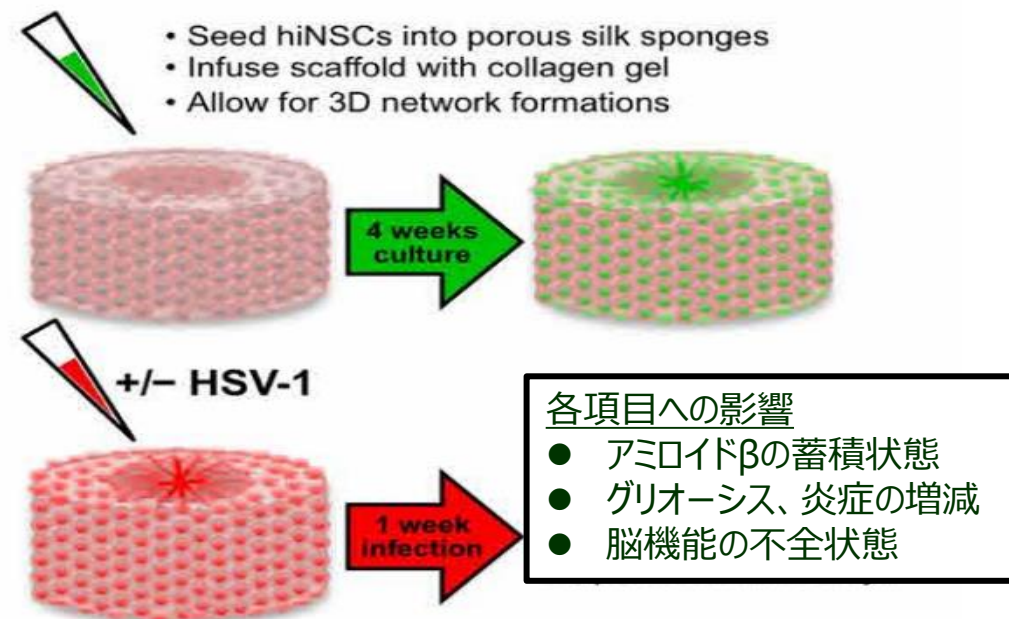
Comparison of strategies to study brain structure-function



<https://sites.tufts.edu/INSciDE/3d-brain-model/>

3次元脳モデル:

シルクスポンジを充填し、ニューロンの複雑な立体構造を再現
二次元モデルとは反応が異なる



Cairns et al. Sci. Adv.6,eaay8828(2020).

◆ オックスフォード大学

- イツアキ教授はAD患者から取りだしたアミロイドβプラークから高レベルのHSV-1ウィルスDNAを検出

◆ タフツ大学

- カプラン教授らは、3D脳モデルで、HSV-1によって引き起こされるアルツハイマー型認知症(AD)の表現型を再現
- HSV-1等の病原体が、アミロイドβの蓄積などを引き起こすことを証明

ヒト脳幹細胞を用いた3次元脳モデルを用いて

➔ アミロイドβ繊維蓄積・脳機能等に対する効果の検証

NK/T細胞リンパ腫

シンガポール国立がんセンター（NCCS）

- 2021年9月 BCVの共同研究契約締結
- 2022年12月 ASH学会発表（抗腫瘍効果）
- 2023年6月 ICML学会発表（抗腫瘍効果予測バイオマーカー研究）

今後の予定

- 2024年Q4 動物モデル試験完了予定
- 2025年Q1 国際共同臨床試験開始予定

GBM(脳腫瘍)

米国カリフォルニア州立大学サンフランシスコ校（UCSF）

- 2022年12月 非臨床試験の受託研究契約締結

今後の予定

- 2024年Q4 PDX動物モデル試験完了予定
- 2025 Q2~ FIH臨床試験開始予定

多発性硬化症

アメリカ国立神経疾患・脳卒中研究所（NIH/NINDS）

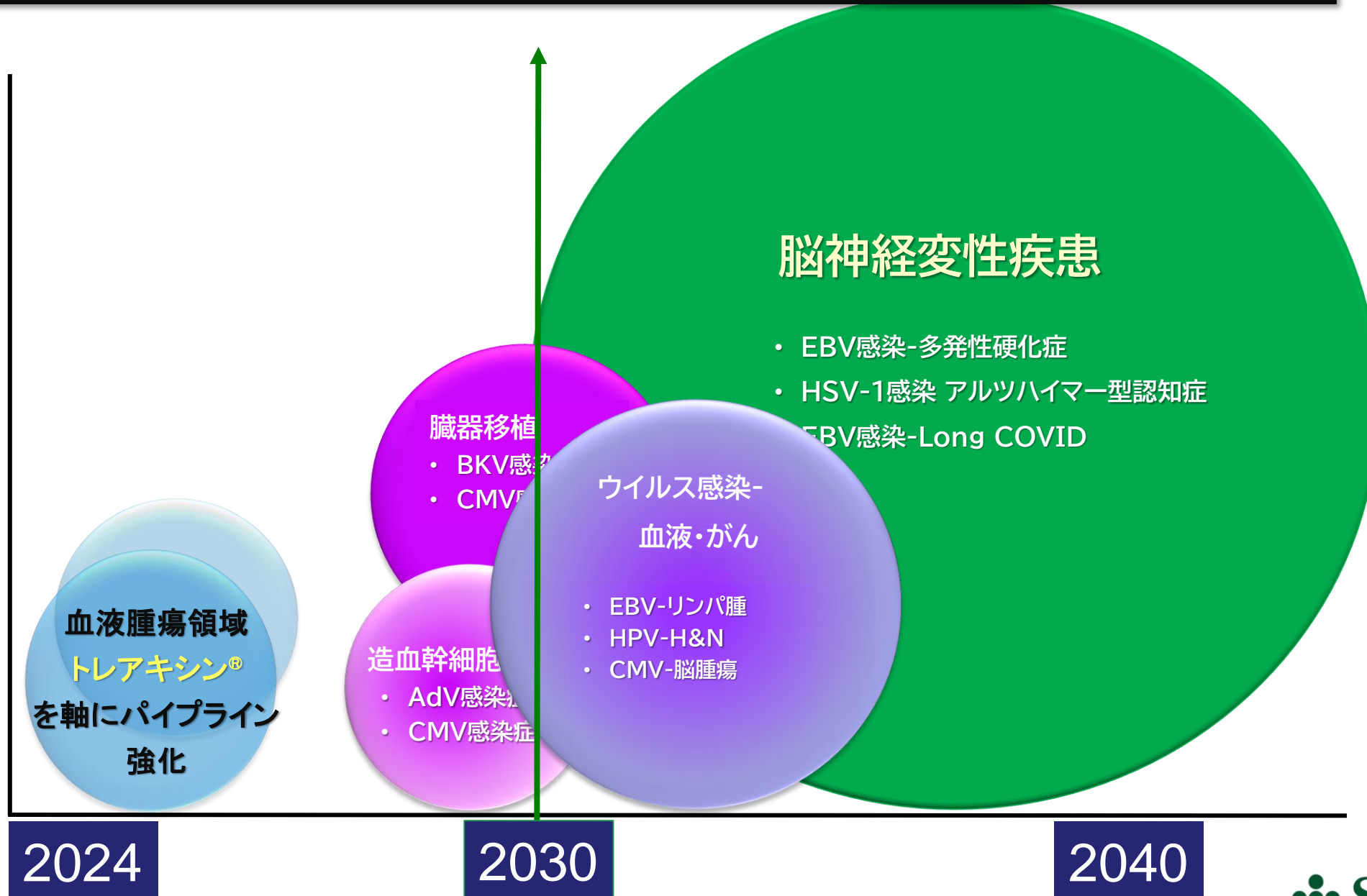
- 2022年8月 BCVの共同研究試料提供契約締結
- 2023年3月 共同研究開発契約（CRADA）の締結
- 2023年10月 ECTRIMS学会の発表（CRADAの成果第一報）

今後の予定

- 2024年Q4 動物モデル試験完了予定
- 2025年Q4~ FIH臨床試験開始予定

“Pipeline Within A Molecule”のプラットフォームが可能ならしめる
→ 【マルチ治療領域 + グローバル事業】の展開

事業戦略の
展開



Next steps...

“Reborn”



CMV P2試験

AdV P3試験

IV BCVのPoC確立
...その第一歩

NK/Tリンパ腫

脳腫瘍・GBM

多発性硬化症

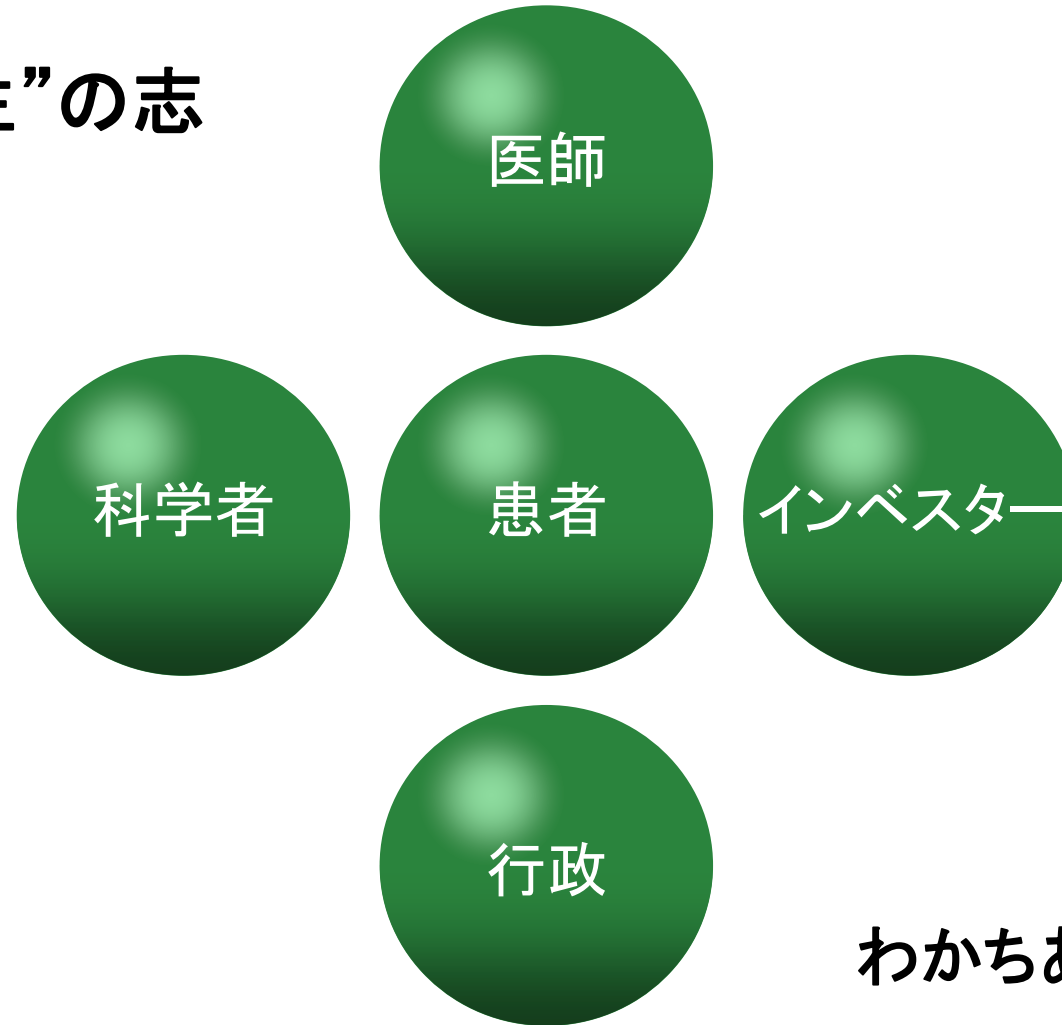
アルツハイマー型
認知症

BCV事業
プラットフォーム

*“Follow the Science,
Follow the Data,
Follow the Patient”*

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