

## ◎ 会社概要 (2023年12月31日現在)

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 179億5,269万円  
事業内容 特定疾病領域(がん・血液・希少疾患)における医薬品の開発および商業化

## ◎ 役員 (2024年3月22日現在)

代表取締役社長 兼 CEO 吉田 文紀  
取締役(社外) 松本 茂外志  
取締役(社外) ブルース・デビッド・チェン  
取締役(社外) 海老沼 英次  
取締役(社外) 今別府 敏雄  
取締役(社外) ジョージ・モースティン  
取締役 常勤監査等委員(社外) 渡部 潔  
取締役 監査等委員(社外) 遠藤 今朝夫  
取締役 監査等委員(社外) 賜 保宏

ホームページのご案内 <https://www.symbiopharma.com/>

### CEO対談

がん患者さんやがん患者さんを支援されている方々、また医療関係者の方々と当社CEOの吉田との対談を通じて、がん医療の現状やニーズ、そしてシンバイオ製薬の使命や取り組みなどについてご紹介します。

ホームページTOP ▶ ビジョン ▶ CEOメッセージ ▶ 吉田文紀発言集 ▶ CEO対談



当社のホームページでは、IR情報の適時適切な開示に努めているだけでなく、経営戦略やパイプラインをわかりやすく説明しています。是非ご覧ください。

## ◎ 株式の状況

発行可能株式総数(2024年3月22日現在) 115,000,000株  
発行済株式の総数(2023年12月31日現在) 42,278,081株  
株主数(2023年12月31日現在) 37,176名

## ◎ 大株主 (上位10位)

株主名	持株数(株)	持株比率(%)
吉田 文紀	1,179,700	2.80
BOFAS INC SEGREGATION ACCOUNT	1,009,775	2.39
黒田 典宏	610,000	1.45
伊藤 輔則	430,000	1.02
松井証券株式会社	271,000	0.64
野村證券株式会社	270,030	0.64
STATE STREET BANK AND TRUST COMPANY 510643	258,000	0.61
株式会社SBI証券	255,980	0.61
BNP PARIBAS LONDON BRANCH FOR PRIME BROKERAGE CLEARANCE ACC FOR THIRD PARTY	249,700	0.59
モルガン・スタンレー・MUFG証券株式会社	224,819	0.53

(注)持株比率は発行済株式の総数より自己株式を控除して計算しております。

## ◎ 株式の分布状況 (2023年12月31日現在)



## ◎ 株主メモ

事業年度 毎年1月1日から12月31日まで  
定時株主総会 毎年3月  
株主確定日 毎年12月31日  
株主名簿管理人 三井住友信託銀行株式会社  
特別口座 口座管理機関 三井住友信託銀行株式会社  
同連絡先 フリーダイヤル: 0120-782-031  
三井住友信託銀行株式会社 証券代行部  
(受付時間: 土・日・祝日を除く9:00~17:00)  
同郵送先 〒168-0063 東京都杉並区和泉二丁目8番4号  
三井住友信託銀行株式会社 証券代行部  
上場証券取引所 東京証券取引所 グロース市場  
公告の方法 電子公告により行う  
<https://www.symbiopharma.com/>

※ただし、電子公告によることができない事故、その他のやむを得ない事由が生じたときは、日本経済新聞に公告いたします。



シンバイオ製薬株式会社

Vol. **25** 第**19**期 2023年1月1日~2023年12月31日

# SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

### 社長メッセージ

## 2023年は「事業の転換点」 今後はプラットフォーム構築に邁進



環境に優しい植物油インキを使用しています。

○ 当社の持続的成長モデル

医療のニーズが高い「空白の治療領域」に特化

大手製薬企業が参入しにくく医療ニーズが高いニッチの市場で、多くの医薬品を開発し提供することで高い収益性を目指します。

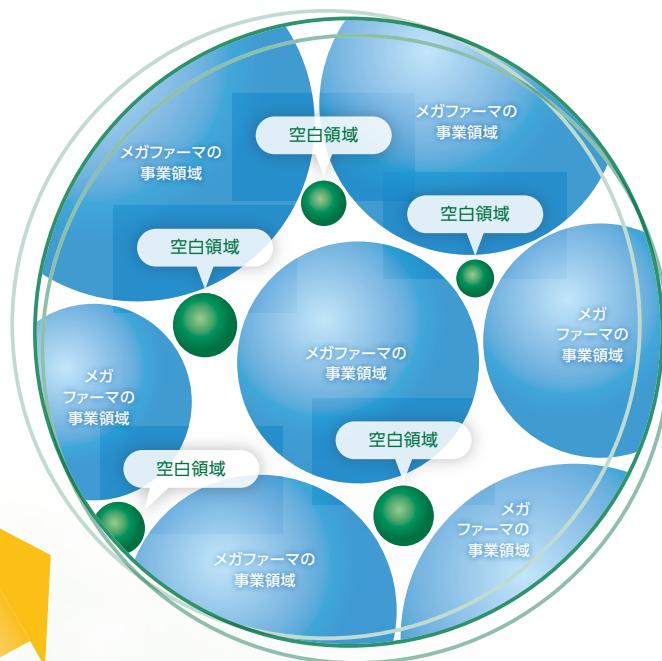
卓越した独自の医薬開発モデルを実現

スペシャリストにより医療ニーズと収益性の高い新薬候補品を選定し、高確率で成功する開発により、短期承認を目指します。

多彩なパイプラインで事業価値を最大化

事業価値の最大化を図るために製品ライフサイクル・マネジメント戦略の強化を推進し、積極的に追加適応症の拡大に取り組みます。

シンバイオが挑む「空白の治療領域」



シンバイオは、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。

経営理念

共創・共生

(共に創り、共に生きる)



2023年は「事業の転換点」  
今後はプラットフォーム構築に邁進

注射剤布林シドフォビルのPOC確立を機に  
事業展開の方向性を大きく転換

代表取締役社長 兼 CEO 吉田文紀



2030年までに国内と海外の売上比率を50:50に  
事業のグローバル化に全力を尽くす

2023年12月期の決算結果については、売上高5,589百万円、営業損失811百万円となりました。これはトリアキシン®の後発医薬品の浸透および薬価下落の影響のほか、抗ウイルス薬「布林シドフォビル」の開発における研究開発費の増額などによるものです。

後発医薬品については、鋭意対応中です。しかしながら日本においては後発医薬品の使用促進が政策として掲げられ、新薬メーカーにとっては極めて厳しい状況が続きます。シンバイオは更なる成長を求め、2019年に布林シドフォビルのグローバルライセンスを取得したのち、現在に至るまで同剤の国際臨床試験を核とした事業のグローバル化に全力を注いできました。2023年は「転換点」です。現在の売上は日本国内のみですが、これを2030年までに50:50とすることを目指し、事業の再構築と研究実績の積み上げを着実に進めています。

注射剤布林シドフォビルのPOC確立をもって  
2023年を事業の転換点と位置づける

シンバイオでは2023年を「事業の転換点」と位置づけています。これは、米国において臨床試験を進めていた注射剤布林シドフォビル (IV BCV) について、2023年5月に抗ウイルス効果のPOC確立が確認できたことによるものです。

POC (Proof of Concept) とは、新薬候補物質の有用性・効果が認められることを指します。この臨床試験は造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象としたものであり、「0.4mg/kg\*1週2回」という用法・用量において、100%の患者に血中アデノウイルスの消失が確認され、2024年1月には用途特許が認められました。これは予想を上回る圧倒的な成果であり、シンバイオの事業戦略上大きな意味を持ちます。シンバイオではこのPOC確立をもって、2023年を「事業の転換点」と位置づけました。今後は、布林シドフォビルの広範なスペクトルを活かしたプラットフォーム構築を重視する事業展開に移行していきます。

\*1: 体重50kg以上の場合: 20mg

## 事業の転換点到達までの あゆみ

### 創業から黒字化まで

- トレアキシシ®の開発・上市を核として、開発・営業・販売まですべての機能を具備した製薬会社となる
- 2021年12月、創業以来初の通期黒字化を達成

2019-2020

第二の創業は  
ここから始まった

2019年9月

米国キメリックス社と高活性の新規抗ウイルス薬「プリンシドフォビル」グローバルライセンス契約を締結 (1)

2020年10月

薬事・信頼性保証本部設立  
グローバル・スタンダード準拠に向けた社内体制整備

2021-2022

グローバル化へ  
着実な布石

2021年-

世界一流の研究機関とともにグローバル共同研究を推進

2021年10月

米国拠点としてシンバイオフィーマUSAが稼働 (2)

2022-2023

ブレイクスルー  
突破口が開く

2022年1月

「サイエンス誌」「ネイチャー誌」各誌に多発性硬化症の疫学、発症メカニズムに関する論文が掲載 (3)

2023年4月・5月

米国国立衛生研究所 (NIH) に所属する2つの研究機関と共同研究開発契約 (CRADA) を締結 (4)

2023

POC確立  
事業の転換点

2023年5月

IV BCVの抗ウイルス効果のPOCを確立「0.4mg/kg 週2回」という最適な用法・用量を見出す (5)

短期的な利益積み上げ  
国内中心の事業推進

転換点

POC  
確立

2024-2030

プラットフォーム構築と  
事業グローバル化にシフト

2024年-

プラットフォーム構築のための7つのKSFを追求 (P7参照)

重視

プラットフォーム構築  
事業グローバル化

ひとつの薬剤で  
複数の治療領域を  
カバーする  
プラットフォーム  
を構築

### 2019年にグローバルライセンス契約を締結し 開発スタート

2019年9月、シンバイオは米国キメリックス社と、プリンシドフォビルのグローバルライセンス契約(オルソボックスウイルスの疾患を除く)を締結しました。プリンシドフォビルはきわめて高い抗ウイルス活性を持っています。広範囲の二本鎖DNAウイルス感染症に対して有効な治療法になりうると確信し、同剤の独占的開発・製造、販売権を取得、開発をスタートしました (1)。

グローバルライセンス契約をスムーズに締結できた背景の一つは、キメリックス社がシンバイオの事業遂行能力を高く評価したことです。創業以来、トレアキシシ®の開発を核として着実に積み上げ、収益化まで成し遂げた実績が、確かな礎となっています。

プリンシドフォビルの開発においては、FDA(米国食品医薬品局)など各国当局対応のための社内体制を整備した

ほか、開発および商業化の拠点としてシンバイオフィーマUSAを稼働しました。(2)。

これらグローバル化に向け本格的な準備を進めていた2022年1月、「サイエンス誌」「ネイチャー誌」にそれぞれ興味深い論文が掲載されました。原因不明の難病とされている多発性硬化症とEBウイルスに関する研究成果を発表するものです(3)。この論文発表を受け、シンバイオはただちに米国国立衛生研究所(NIH)傘下の国立神経疾患・脳卒中研究所(NINDS)の研究者であるジェイコブソン博士にコンタクトし、その後、NIHに所属する2つの研究機関とCRADA\*2を締結することができました(4)。これは米国政府の研究機関がプリンシドフォビル開発の意義を認め、米国政府の研究機関が有する設備や予算を用いて、研究が進められるということです。

\*2: CRADA: Cooperative Research and Development Agreementの頭文字。NIHなど連邦政府研究機関が、民間企業や大学との共同研究を行う際に締結される正式な契約。

### 「0.4mg/kg 週2回」という最適用法・用量を見出し、2023年5月にPOCを確立

2023年5月には、現在進行中の臨床試験において大きな研究成果がもたらされました。開発先行していた造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象とした注射剤プリンシドフォビル(IV BCV)の第II相臨床試験において、POCが確認されたのです。3段階の用量漸増により安全性や効果を評価する本試験では、「0.4mg/kg 週2回」の投与群で血中アデノウイルスの消失が100%の患者に確認されました。

2023年は事業価値の転換点であり、今後はこの用法・用量を起点として、複数の治療領域に対する治療薬としての開発を急ぎます(5)。

P5

シンバイオが目指す「事業のプラットフォーム化」とは

### 短期的な利益積み上げや国内中心の事業から 長期的なプラットフォーム構築とグローバル化に転換

前述のPOC確立を受けて、シンバイオはこれまでの短期的な利益積み上げや国内中心の事業から、長期的なプラットフォーム構築と事業グローバル化を重視する戦略に転換していきます。現在、米国において、事業推進とともに機関投資家とのミーティングを重ねています。彼の地の投資家からはシンバイオの事業進捗に大きな関心が寄せられており、2019年からわずか3年半で確かな成果を出していることなどが評価されていると手応えを感じています。

シンバイオは、トレアキシシ®の製品売上によるキャッシュ・フローを有しており、プリンシドフォビルの開発再投資に充てています。大切な研究開発の資源を活かし、この革新的な抗ウイルス薬を一日も早く上市できるよう邁進していきます。

## シンバイオが目指す「事業のプラットフォーム化」とは

### 幅広い領域をカバーする プラットフォームをスピーディーに構築する

注射剤布林シドフォビル(IV BCV)におけるPOCが確立されたことにより、今後の開発は効果と安全性が認められた「0.4mg/kg 週2回」の用法・用量からスタートすることができます。これが臨床開発のリスク軽減と開発期間の大幅な短縮につながります。

### 事業のプラットフォーム化とは?

#### 一つの化合物で複数のパイプライン形成を目指す

一般的に、事業のプラットフォーム化とは、製品やサービスを提供するための場である「プラットフォーム」を基盤として提供し、そこに多くの企業や顧客が参画することでより大きな経済圏を形成することを指します。

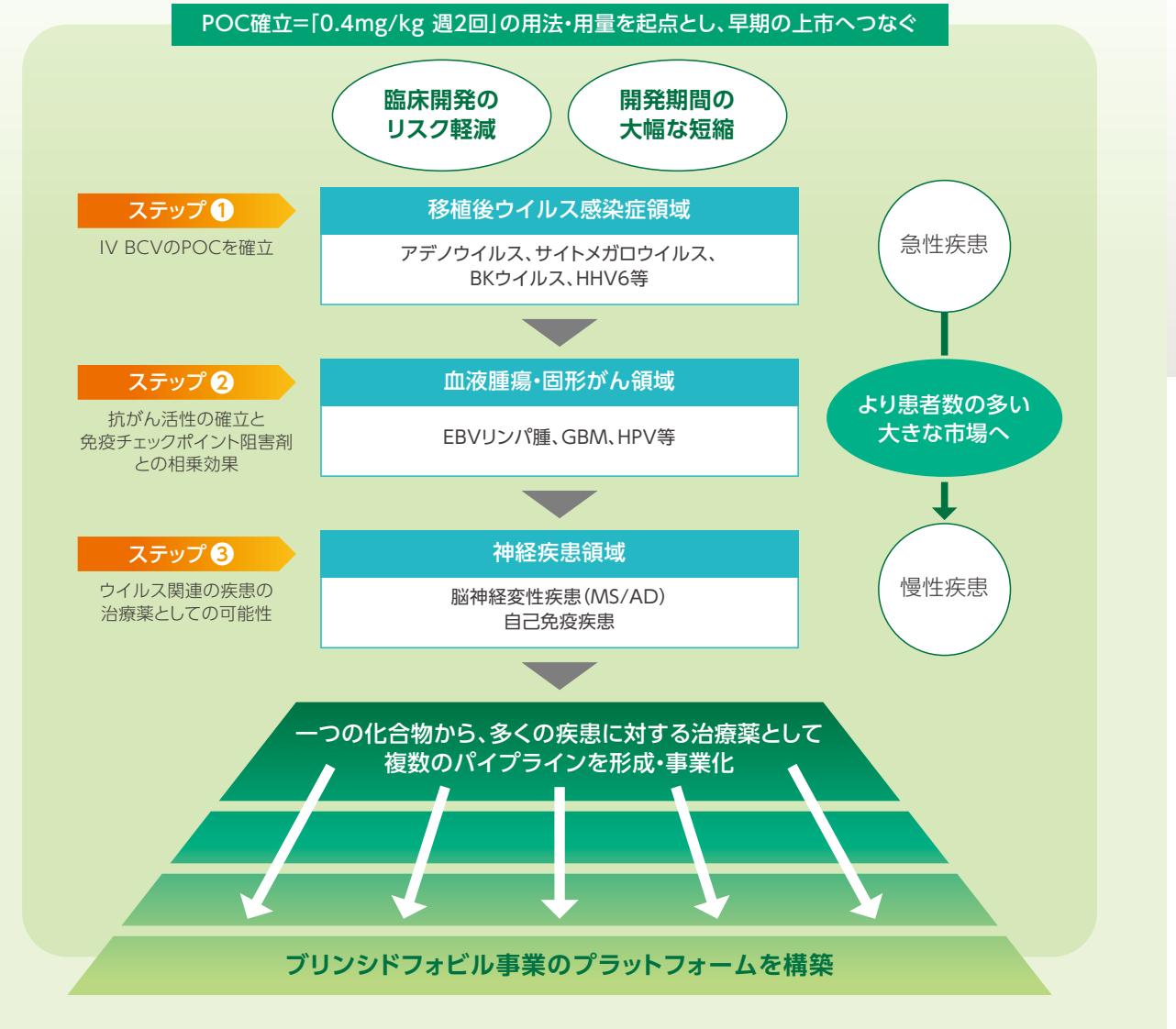
布林シドフォビルは二本鎖DNAウイルスに対して広域なスペクトラムを持っています。布林シドフォビルという一つの化合物から複数のパイプラインを形成することで、同剤を基盤としたプラットフォームの構築を目指します。複数の治療領域に対する治療薬として事業化することで、持続的な売上拡大と安定的な収益の確保につなげていきます。

プラットフォーム構築の起点は、注射剤布林シドフォビル(IV BCV)の開発で得られたPOCの用量・投与スケジュール

ルです。効果と安全性が認められたこの用法・用量を起点とすることで、今後の臨床開発のリスク軽減と、開発期間の大幅な短縮を図ります。

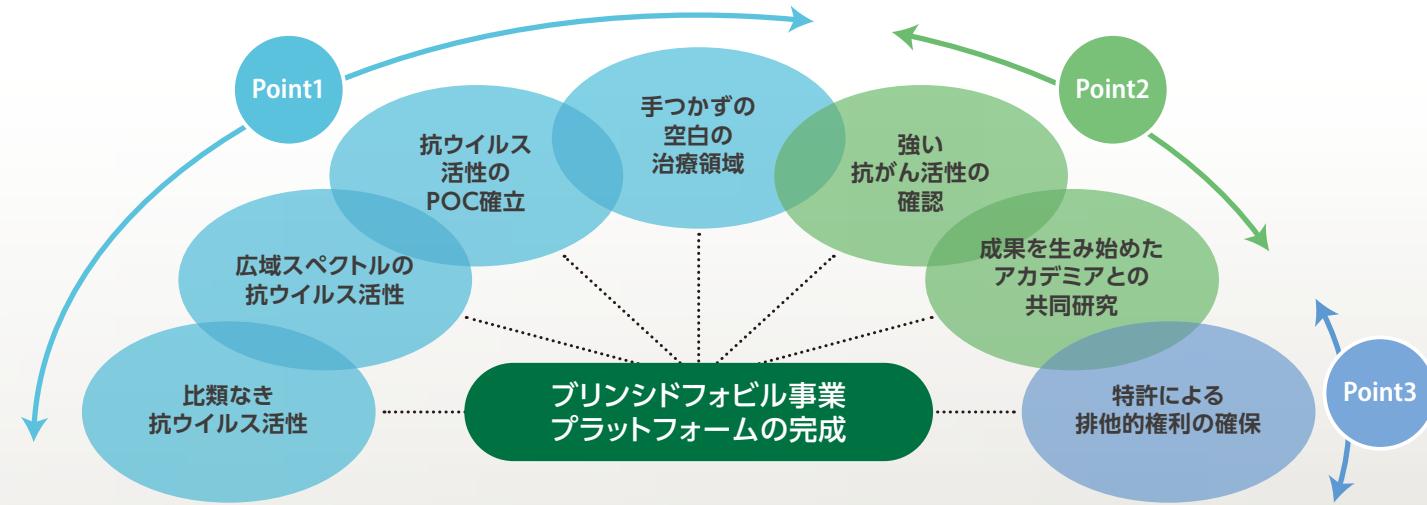
現在は造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を適応症とした臨床試験が先行しており、今後、欧米日英の4地域を中心とした国際第Ⅲ相臨床試験に向けた準備を行っていきます。また、造血幹細胞移植後のサイトメガロウイルス感染症についても、医療現場のニーズに応えるかたちで開発計画の優先順位を上げ、第Ⅱ相臨床試験の準備に着手しています。血液腫瘍・固形がん領域および神経疾患領域については、引き続き非臨床試験が進行しています。

### ○ ブリンシドフォビル事業 プラットフォームの構築の仕組み



## プラットフォーム構築を成功ならしめる7つの鍵

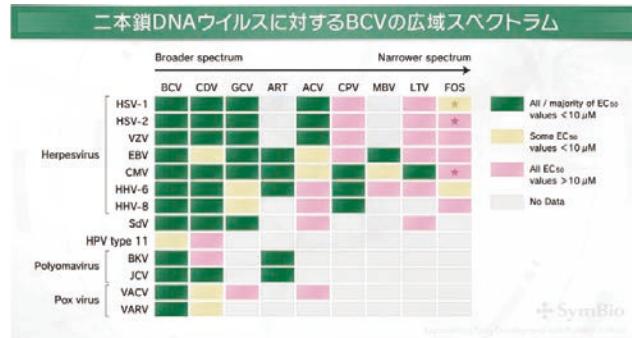
シンバイオでは、プリンシドフォビル事業のプラットフォーム構築を成功させるための要因として7つのKey Success Factor (KSF、重要成功要因)を設定しています。プリンシドフォビルの持つ優れた特性を最大限まで引き出し、アカデミアとの共同研究から得られるデータを余すところなく活用していきます。ここでは7つのKSFを3つの視点から説明します。



### Point1

#### プリンシドフォビルの優れた特性を空白の治療領域に活かす

それまで原因不明とされていた多発性硬化症に関して、2022年1月に米国ハーバード大学のチームが「EBウイルスは多発性硬化症の主な原因である」とサイエンス誌に報告したように、ウイルス感染症との合併症疾患は病因が複合的であり、2つ以上の異なる疾患領域にまたがっているため未解明の部分が多く、有効な治療方法がありません。こうした多くの疾患が手つかずの「空白の治療領域」となっており、二本鎖DNAウイルスに対して高い活性を持つプリンシドフォビルが新たな治療薬となる可能性があります。シンバイオは企業使命としてこれらの領域に取り組んでいきます。多岐にわたる治療領域での開発を迅速に進めるため、グローバル企業とのパートナーリング締結に向けた取り組みも引き続き進めています。



▲ プリンシドフォビルの広いスペクトラムが示された図。左端列がプリンシドフォビル(BCV)であり、数多くの二本鎖DNAウイルスに対して高い活性(緑色)があることを示しています。

### Point2

#### 強い抗がん活性の確認 がん領域の治療薬としての期待

2023年6月、スイス・ルガーノで開催された第17回国際悪性リンパ腫会議において、シンガポール国立がんセンターのジェイソン・Y・チャン博士によってプリンシドフォビルに関する共同研究成果が発表されました。

シンガポール国立がんセンターとの共同研究では、これまでに、悪性リンパ腫の一つであるNK/T細胞リンパ腫を縮小させることが動物モデルで証明されています。今回はさらに研究が進み、プリンシドフォビルのNK/T細胞リンパ腫に対する抗腫瘍作用を予測しうるバイオマーカーが見出されたことなどが発表されました。血液腫瘍・がん疾患における治療法の大きな進歩として、医療現場や研究者の間で期待されています。

### Point3

#### 特許による排他的権利の確保 プリンシドフォビルの事業価値向上に努める

2024年1月には、造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症において確立したPOCデータをもとに、日本での用途特許を取得しました。今後は同一内容の特許を欧米等の各国において出願していく予定です。

本件は、用途特許としては、シンバイオが初めて取得した特許です。今後も非臨床試験や臨床試験の成果に基づき、特許出願を戦略的に行うことによって、プリンシドフォビルの事業価値の向上に努めていきます。

現在、シンバイオの従業員の7割以上がプリンシドフォビルの開発に携わっています。各国の共同研究のパートナーとも一丸となり、この期待の新薬を医療現場にお届けできるよう邁進しています。株主の皆さまには変わらぬご支援をお願いいたします。

## 新薬を待ち望む患者さんのもとへ ブリンシドフォビルを届ける

### 新薬のコンパッショネート・ユース (Compassionate use:人道的使用)とは

希少疾患や重病、難病の患者の救済を目的として、代替療法がないなどの限定的状況において未承認薬の使用を認める公的制度のことです。アメリカやEUなどで導入されています。

### 患者さんのもとへ

#### 新薬をお届けできる喜び

2023年12月、シンバイオのもとに米国在住の10代の患者さんの家族から一通のメールが届きました。血液がんの治療で骨髄移植を行ったこの患者さんは、術後にアデノウイルス感染症を発症。治療薬や治療法がなく、命にかかわる状態に陥っていました。あきらめることができない家族が治療法を探していたところ、注射剤ブリンシドフォビルのPOC確立を知っていた主治医から「未承認だが開発が進んでいる新薬がある」という話を聞いたのです。家族はすぐに開発元であるシンバイオにコンタクト。主治医からも治療の申し出があり、シンバイオは速やかにFDA(米国食品医薬品局)に申請し、コンパッショネート・ユース(人道的使用)が認められました。

1か月後、注射剤ブリンシドフォビルによる治療が無事に終了し、患者さんは元気で、症状が改善し、重い副作用もないと報告が入りました。

この事例に続き、オーストラリア・ブリスベン(2歳)と、カナダ・トロント(2歳)の患者さんからも、主治医を通じて治療の依頼がありました。各国当局と連携しながら治療を進めています。

これらの対応を通じて、シンバイオは大きな喜びを感じると同時に、新しい治療法や治療薬を待ち望む患者さんに一日も早くブリンシドフォビルを届けなくてはならないという使命感をあらためて認識しました。引き続き承認取得に向けた開発を進めるとともに、次々に寄せられる治療依頼に対応する組織体制を構築し、対応を進めていきます。

### 特別メッセージ

## 医療の現場からの熱望に 応えたい



マイケル・グリムリー

Michael Grimley

シンシナティ小児病院医療センター  
癌・血液疾患研究所  
骨髄移植・免疫不全  
メディカルディレクター  
小児科教授

### 「この薬はいついどこで手に入るのか？」 学会発表で大きな関心を集める

私は小児科と骨髄移植が専門で、現在、シンシナティ大学と、小児医療では全米トップレベルの規模を有するシンシナティ小児病院医療センターで骨髄疾患の子どもたちを診ています。

経口剤ブリンシドフォビル(天然痘疾患で承認されているが、アデノウイルス感染症には使用できない)は、以前開発が進んでいたのですが、経口薬のため消化器の粘膜障害や下痢、腹痛などの深刻な副作用が臨床試験で見られました。

シンバイオが開発中の注射剤ブリンシドフォビルの第II相臨床試験の結果では、経口剤ブリンシドフォビルで問題となっていた消化管への毒性や腎毒性がみられませんでした。コーホート1、2、3と用量を

漸増する試験でも私の予想を上回るような良い結果が出て、コーホート3においては血中アデノウイルスの消失もみられました。これらのPOCデータを2023年12月に開催された第65回米国血液学会年次総会で発表すると、効果・安全性に興味を持った参加者からさまざまな質問が出ました。そのなかで一番多かったのは「この薬はいついどこで手に入るのか?」という質問でした。

### 世界中の患者に届けるために 薬事承認を得るパスウェイは重要

私は「ブリンシドフォビル」の開発初期から研究に携わっており、有効性と安全性の高さを経験してきました。アデノウイルス感染症に対する有効な治療法がない現在、世界中で待っている患者にこの素晴らしい薬を確実に届けるには、各国の規制当局に安全な薬剤だと認められ、承認を受けて上市することが重要です。

2024年2月の2024Tandem Meetings(米国移植細胞治療学会および国際血液骨髄移植研究センター合同会議)の発表では、参加していた医師がすべて移植専門医ということもあり、これまで以上に強い関心と熱意、手応えを感じました。この潮流は揺るぎないものです。これからもシンバイオと手を携え、早期の薬事承認を期待し研究を重ねていきます。