

## ◎ 会社概要 (2023年9月30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  
(2023年12月1日現在)  
設立 2005年3月25日  
資本金 176億36万円  
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 (2023年9月30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・チェンソ  
取締役(社外) 海老沼 英次  
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。



**SymBio**  
シンバイオ製薬株式会社

**UD**  
FONT

**VEGETABLE**  
OIL INK

環境に優しい植物油インキを使用しています。

## ◎ 株式の状況 (2023年6月30日現在)

発行可能株式総数 65,000,000株  
発行済株式の総数 39,840,556株  
株主数 38,656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	2.97
ML PRO SEGREGATION ACCOUNT	1,000,075	2.51
黒田 典宏	704,000	1.77
伊藤 輔則	430,000	1.08
MSIP CLIENT SECURITIES	347,128	0.87
柏原 俊高	220,025	0.55
SMBC日興証券株式会社	125,200	0.31
藤本 継之	121,000	0.30
西岡 照	120,000	0.30
利重 宏美	115,800	0.29

(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6月30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。

**SymBio**  
シンバイオ製薬株式会社

Vol. **24** 第**19**期  
**SymBio VISION**  
わかちあう、創薬の喜び。

### 社長メッセージ

グローバル事業の収益化まで  
見据えた第二の創業期の進捗

○ 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。

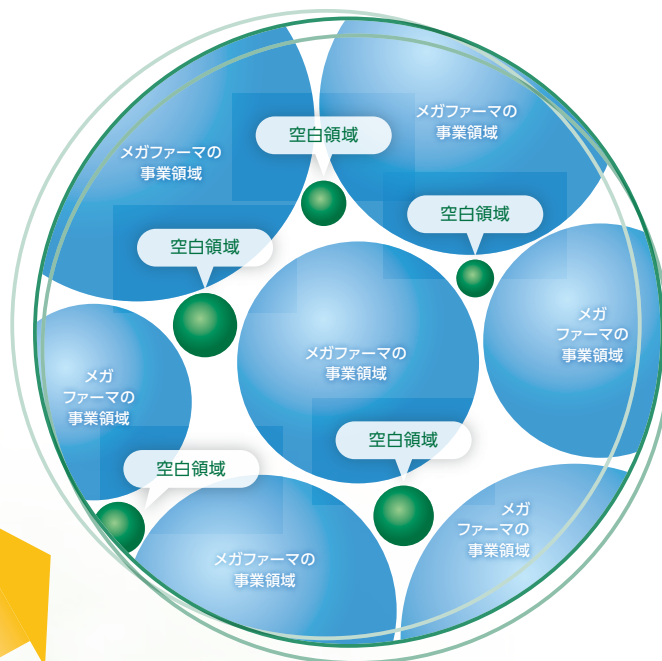
卓越した独自の医薬開発モデルを実現

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)



グローバル事業の収益化まで  
見据えた第二の創業期の進捗

ブリンシドフォビル開発に確かな手ごたえ



代表取締役社長 兼 CEO 志田 文紀

2023年12月期 BCVのグローバル開発には  
大きな前進あり。通期業績予想は下方修正

2023年12月期の第3四半期までの事業成果においては、2023年5月、米国において実施中の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ブリンシドフォビル (IV BCV) の第II相試験において、抗ウイルス効果のPOC<sup>\*1</sup>確立を確認しました。この結果は、2023年12月に米国サンディエゴで行われた第65回米国血液学会年次総会において口頭発表に選出され発表が行われました。本試験により、抗ウイルス活性に関しては、0.4mg/kg<sup>\*2</sup>週2回のIV BCV投与群において、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。また、本試験のコーホート1からコーホート3の全27例において、治療に関連した重篤な有害事象は認められませんでした。これはIV BCVの開発における大きなハードルを無事に越えたことを意味し、当社の事業戦略上大きな意味を持ちます。アデノウイルス感染症は致死率が高く、医療ニーズの極めて高い疾患で

す。本試験は米国食品医薬品局 (FDA) よりファスト・トラック<sup>\*3</sup>の指定を受けており、現在、第III相試験の開始に向けて準備を進めております。

2023年12月期の第3四半期決算結果については、売上高4,421百万円、営業損失283百万円となりました。

通期の業績予想については、後発医薬品の影響は概ね想定どおりであるものの、新型コロナウイルス感染症に加え季節性インフルエンザの流行による悪性リンパ腫の症例当たり薬剤使用量の減少傾向及び治療の遅延が継続し、ベンダムスチン市場が縮小した影響を受け、売上高を5,603百万円に下方修正しました。BCVのグローバル開発のための研究開発投資を最優先に進める一方で経費の見直しを行い、販売費及び一般管理費の削減を図っておりますが、売上高減少の影響により、営業損失は680百万円に下方修正しました。

※1: Proof of Conceptの頭文字で、研究開発中の新薬候補物質において、有用性・効果が認められること。

※2: 0.4mg/kgまたは、体重50kg以上の場合20mg

※3: 治療困難な疾患に対する治療薬の開発を促進し、迅速に審査するための制度。関連基準を満たせば優先審査の対象となる。

## BCV開発の確かな手ごたえと 2つの「転換点」

日本からグローバルへ  
血液腫瘍領域から複数の「空白の治療領域」へ

シンバイオは、2005年の創業から15年をかけて国内における自社営業体制を構築し、2021年12月期に黒字化を達成しました。現在は「第二の創業期」にあります。血液腫瘍専門の製薬会社から、複数の「空白の治療領域」へ新薬をお届けできるグローバル・スペシャリティファーマへのトランスフォーメーションを目指しています。将来的には世界各国のさまざまなパートナーとの協業も視野に入れています。

### BCV開発の確かな手ごたえ CRADA締結の大きな意義

BCVは新規の高活性抗マルチウイルス薬として期待されており、シンバイオでは複数の適応症を対象として研究開発を計画しております。その一つが米国国立衛生研究所 (NIH) の一部である国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) と、多発性硬化症を対象として進めている共同研究です。NINDS とシンバイオは2023年3月に共同研究開発契約 (CRADA: Cooperative Research and Development Agreement) を締結し、臨床試験の実施に向けて取り組んでいます。2023年10月にはイタリア・ミラノで開催された「第9回ECTRIMS-ACTRIMS合同学会」においてBCVに関する研究成果が発表され、NINDSとのCRADAにおける研究成果の早くも第一報となりました。

CRADAとは、NIHなど連邦政府研究機関が、民間企業

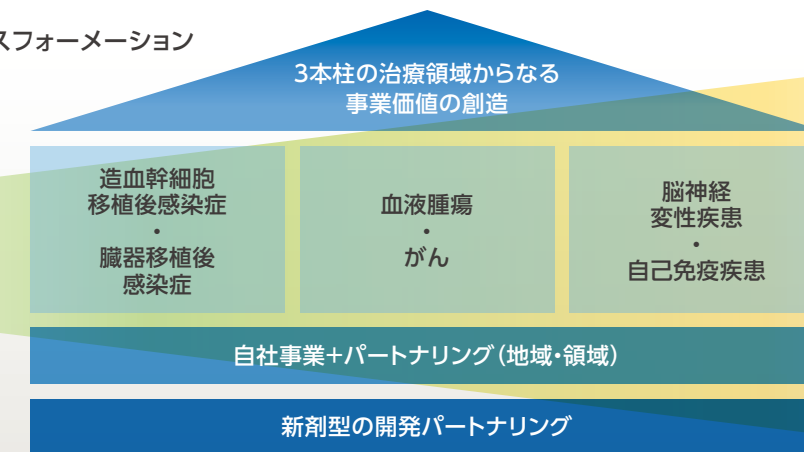
や大学との共同研究を行う際に締結される正式な契約を指します。NIHとCRADAを締結した民間企業は、共同研究によって得られた特許発明について特許権の使用許諾を得る優先権が与えられます。

NIHに所属するNINDSが民間企業とCRADAを締結する狙いは、米国政府の研究機関が有する施設、特許、専門性を用いて共同研究を行い、科学的・技術的知識を活用し、人類にとって有用な商業製品として上市することです。NINDSチームとともに取り組んでいる共同研究で適応症としている多発性硬化症は、世界的にも欧米を中心に患者数の多い原因不明の難病であり、アンメットニーズの極めて高い疾患領域です。このCRADAは、この研究開発の社会的意義が認められたことを意味するものであり、シンバイオがBCVの事業化・商業化を実現できる開発力や実行力があると認められたことの裏付けに他なりません。

### 「第二の創業期」のトランスフォーメーション

日本国内のみ

血液腫瘍領域専門



### グローバル化と複数の新しい治療領域 2つの「転換点」

真のグローバル・スペシャリティファーマとなるために、この2023年12月期から2024年12月期は、2つの意味において重要なマイルストーンを達成しなくてはならない「転換点」にあると考えています。

#### ①日本市場からグローバル市場への本格的な移行

現在、米国やシンガポールなど世界最高峰の研究機関と共同でBCVの研究開発を進めています。これらの確実な推進により「グローバル・スペシャリティファーマ」への転換を果たします。

#### ②1つの治療領域(血液腫瘍)から

##### 3つの治療領域への拡大

血液腫瘍専門の製薬会社として培った知見を基盤として、BCVの開発を通して新しい複数の治療領域へ挑戦して

いきます。

BCVは「Pipeline within a molecule (一つの化合物に複数のパイプライン)」を実現する画期的な化合物です。このポテンシャルを最大限に引き出すべく、さまざまな可能性を探っていきます。

2023年10月、シンバイオは第三者割当による新株式発行により資金調達を行いました。これはBCVのグローバル開発事業拡大のための資金の確保、および長期的な成長機会を確保するための新規ライセンス導入等を実現するための施策を迅速に実施することによって新製品の上市を目的とするものです。当社のミッションである「空白の治療領域への挑戦」のもと、BCV開発を「第二の創業期」の成長エンジンとして、2030年を目指して、グローバル企業へのトランスフォーメーションを果たしていきたいと考えています。

代表取締役社長 兼 CEO

吉田 文紀



## グローバル事業の 本格稼働に向け エネルギーを蓄える

### ◎ 2023年12月期下半期から2024年12月期までの キー・マイルストーン

グローバル経営基盤 の確立	① シンバイオファーマUSAの経営基盤確立
BCV開発パイプラインの 進展	② アデノウイルス感染症を適応症とした注射剤BCVの第II相臨床試験を終了し、国際第III相臨床試験を開始 ③ サイトメガロウイルス感染症を適応症とした注射剤BCVの第Ib相臨床試験(米国)を開始 ④ 脳腫瘍を適応症とした注射剤BCVの第Ib相臨床試験(グローバル)を開始 ⑤ 米国国立神経疾患・脳卒中研究所との共同研究 多発性硬化症のFIH*の判断
国内事業の強化・進化	⑥ 国内においてトレアキシン®売上目標達成、新規薬剤の導入、BCV国内臨床試験開始

\* First in Human: ヒトへの投与開始

### パイプラインを充実させ いかにエネルギーを蓄えられるか

2023年12月期の第4四半期から2024年12月期は、飛躍の時期に向け、いかにエネルギーを蓄えられるかが勝負の分かれ目です。具体的には100%出資の米国子会社であるシンバイオファーマUSAの経営基盤確立に取り組むとともに、パイプラインの充実を図ります。

注射剤BCVの開発においては、2023年12月期上半期中に、造血幹細胞移植後アデノウイルス感染症に対するヒトPOCの確立という大きな前進を果たしています。今後はBCVの承認に向けて第III相臨床試験を検討する予定です。そのほか、サイトメガロウイルス感染症や脳腫瘍を適応症とした臨床試験も開始予定です。

### 米国子会社シンバイオファーマUSAの 経営基盤強化の取り組み

2023年8月、シンバイオファーマUSAのCEO 兼 社長として、ステファン・ベルティエを選任しました。ベルティエ氏はグローバル事業の卓越した知見と経験を有しており、同氏にはBCVの収益化を見据えた事業推進を期待しています。シンバイオファーマUSAは、注射剤BCVのグローバル事業を牽引する使命を持つ戦略的拠点として、欧米日において開発をさらに加速し、収益化を実現するための取り組みを強化していきます。シンバイオファーマUSAは引き続き経営基盤強化に取り組んでおり、グローバルな視点に立つ経営陣と開発チームの構築を進めています。

### シンバイオファーマUSA 新CEOメッセージ



ステファン・ベルティエ  
Stephane Berthier  
シンバイオ製薬 執行役員  
シンバイオファーマUSA CEO 兼 社長

### 患者さんや株主の皆様 に価値を提供し、開発の原動力となる 収益を生み出すため 事業に優先順位をつけて取り組む

過去20年間、世界中でがん治療薬の開発と上市に携わってきた私は、プリンシドフォビル (BCV) に非常に興味を持ちました。BCVはまだカットも研磨もされていない宝石の原石であり、シンバイオは患者さんのためにBCVが持つ完全な価値を造り上げていく宝石細工師だと考えています。

BCVは、その幅広い抗ウイルススペクトルだけでなく、非臨床モデルで抗腫瘍活性を実証しています。私

は膠芽腫などのがん患者さんを対象としたBCVの開発にとっても喜びを感じています。私は患者さんの生活に変化をもたらしたいと考えておりますし、BCVが世界中の患者さんやご家族にポジティブな影響を与えられると強く信じています。

BCVの価値は、BCVそれ自体に対する挑戦でもあります。さまざまな分野(ウイルス感染症、血液・腫瘍疾患、神経変性疾患など)にまたがる非常に多くの機会があり、BCVの恩恵を受ける可能性のある患者さん一人ひとりを助けたいと考えていますが、その可能性の中から選択をするということは難しいことです。しかし、BCVをタイムリーに患者さんにお届けし、株主の皆様価値を提供し、他の適応症の開発の原動力となる収益を生み出すためには、リソースを集中し、優先順位をつけることがシンバイオにとって極めて重要です。私は、シンバイオが一丸となって達成すべき重要な目標に対して組織を整え、タイムラインどおり、予算どおり、高い品質で以下に挙げるミッションを実行していきたいと考えています。私の3つの主な優先課題は、①アデノウイルス感染症の治療に対するさらなる試験の登録を開始し、それを実行するために主要な保健当局 (FDA, EMA, PMDA など) と連携すること、②がん領域におけるBCVの臨床効果を実証すること、③組織と株主の価値を創造し、最大化するために、さらなるパートナーシップを模索することです。株主の皆様には、引き続きシンバイオにご期待いただきたいと思います。