

◎ 会社概要 (2021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3-2-2 虎ノ門30森ビル
 設立 2005年3月25日
 資本金 171億5,762万円
 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 (2022年3月29日現在)

代表取締役社長 兼 CEO 吉田 文紀
 取締役副社長 兼 COO 伊藤 浩孝
 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 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/>

社長対談

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社長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。



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。



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 (2021年12月31日現在)

発行可能株式総数 41,750,000株
 発行済株式の総数 38,457,206株
 株主数 38,073名

◎ 大株主 (上位10位)

株主名	持株数(株)	持株比率(%)
楽天証券株式会社	1,345,100	3.51
吉田 文紀	1,074,700	2.80
松井証券株式会社	738,500	1.92
SMBC日興証券株式会社	727,300	1.90
野村證券株式会社自己振替口	550,000	1.43
株式会社SBI証券	403,608	1.05
NOMURA PB NOMINEES LIMITED OMNIBUS-M ARGIN(CASHPB)	303,650	0.79
伊藤 輔則	302,000	0.79
今村 均	225,700	0.59
野村證券株式会社	207,731	0.54

(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 (2021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)
 〒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
 同郵送先
 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。



Vol. 21

第17期 2021年1月1日~2021年12月31日

SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

社長メッセージ

企業理念の実現と持続的な成長に向けて



証券コード: 4582

○ 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。

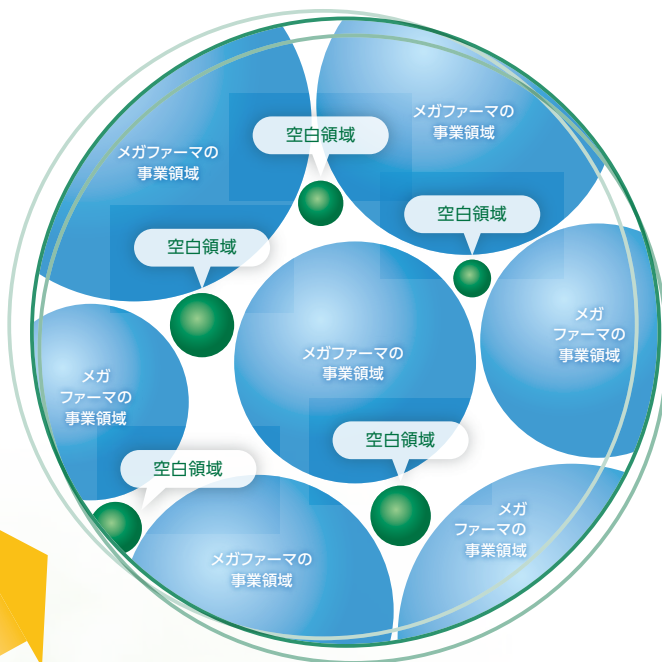
卓越した独自の医薬開発モデルを実現

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)



企業理念の実現と持続的な
成長に向けて

真のグローバル・スペシャリティファーマへ
新しい組織体制構築を推進

代表取締役社長 兼 CEO 吉田文紀



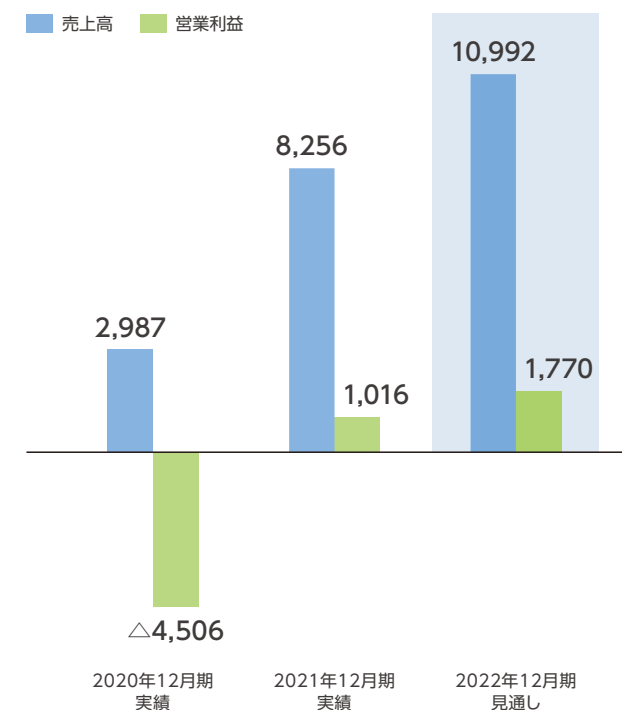
2021年12月期は通期で黒字化を達成

2021年12月期は、最重要課題であった黒字化を達成した節目の年となりました。国内のバイオベンチャーで、自社で研究開発投資を行い、自社販売をして黒字化している企業はほとんどありません。創業以来、長年にわたり変わらぬご指導とご鞭撻をいただいた株主の皆様をはじめとするすべての関係者の方々に心より感謝を申し上げます。

当社は当事業年度において、自社販売体制によって開発から営業、販売まですべての機能を具備することにより、製薬企業としてのクリティカルマスを確保できました。さらにはシンバイオファーマUSA (SPU) によるグローバル事業の本格始動、国内外のアカデミアとの積極的な共同研究の推進などの取り組みも着実に進めてきました。2022年12月期からは「第二の創業期」として新しい組織体制を構築し、真のグローバル・スペシャリティファーマを目指して事業を推進していきます。

○ 売上高／営業利益推移

(単位:百万円)



盤石な事業基盤のもと 本格的なグローバル展開へ

真のグローバル・スペシャリティファーマへ
飛躍するためのステップの始まり

2021年12月期までに構築した盤石な事業基盤を足掛かりとして、2022年12月期はプリンシドフォビル(BCV)開発を軸としたグローバル事業展開と、国内外の複数のアカデミアとの共同研究を推進していきます。



「第二の創業」のドライバーは 抗ウイルス薬「プリンシドフォビル」の開発

2022年12月期は、「第二の創業」の初年度として、真のグローバル・スペシャリティファーマとなるための新しい組織構築を進めています。事業戦略の軸となるのが、抗ウイルス薬「プリンシドフォビル」の開発です。同剤については、2019年9月、米国キメリックス社との間で注射剤および経口剤に関して独占的グローバルライセンス契約を締結しました。これにより当社は、天然痘を除くすべての疾患を対象として世界全域における開発・販売・製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得しています。現在は米国と英国において、造血幹細胞移植後等の免疫不全におけるアデノウイルス感染症を適応症とした国際共同第Ⅱ相臨床試験が進行中です。

P7 「BCVの新たな可能性」

さまざまな専門部署が一丸となり 協働するための組織づくり

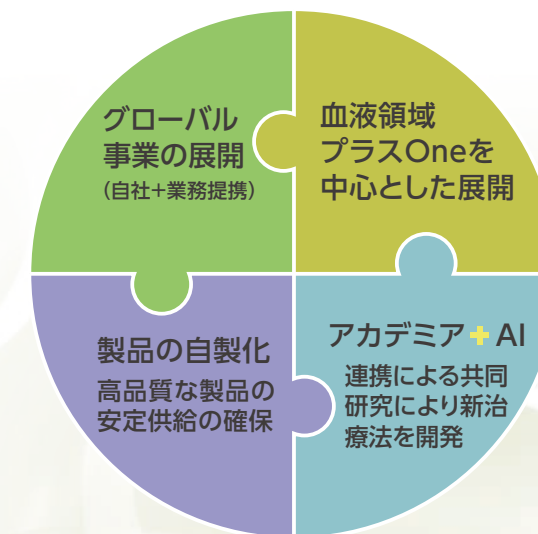
今後のグローバル化に向け、シンバイオ本社では新組織として製品戦略本部を設置しました。製品戦略本部では、トレアキシン®を含めた当社のすべてのパイプラインの価値を増大させるため、事業全体を俯瞰し開発の方向性を定めていく役割を担います。シンバイオは高い専門性と豊富な知見を持つスペシャリストの集団であり、たとえば化合物探索や臨床開発を管掌するグローバル開発本部、品質保証と安全管理を担う薬事・信頼性保証本部など、さまざまな専門部署から構成されています。製品戦略本部の設立により、これら専門部署がひとつの目標に向けて組織横断的、かつシステムティックな協働を目指します。

P5 「本格始動したグローバル事業」

国内外の優れたアカデミアとの 積極的な連携

企業価値の向上およびパイプライン拡充を目的として、アカデミアとの連携も積極的に行っています。現在国内4件、海外3件が進行しており、当社既存の開発品目であるベンダムスチン(トレアキシン®の一般名)およびリゴセルチブについても新たな有用性の探索が進行しています。2022年1月、当社は東京大学との間で、ベンダムスチンおよびリゴセルチブ、あるいは他の多様な薬物との併用療法を含む抗腫瘍薬物治療に関して、新たな有用性の探索などを行うことを目的に、社会連携講座「分子腫瘍薬学」を設置する契約を締結しました。これらの薬剤が持つ潜在的なポテンシャルを見出すことで新たな治療法の開発を目指し、事業価値の最大化に努めていきます。

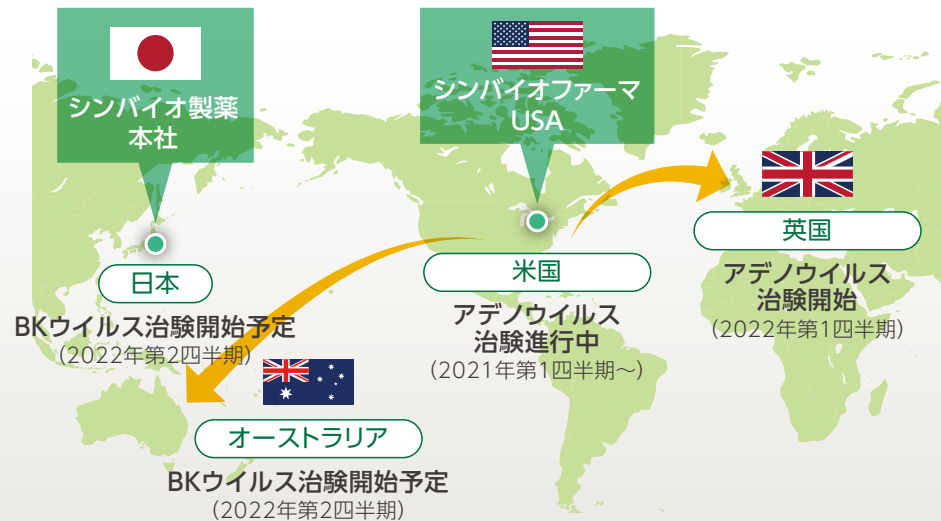
シンバイオの今後の戦略 – 新たなパズルへの挑戦



パイプラインのさらなる拡充を目指して

グローバル戦略の要としての
プリンシドフォビル開発

プリンシドフォビルはシンバイオのグローバル開発品第1号として、シンバイオファーマUSAが拠点となり、本社と連携しながら事業展開しています。



プリンシドフォビル開発パイプラインの状況

開発品目	適応症	開発・臨床試験地域	臨床試験			申請・承認
			第I相試験	第II相試験	第III相試験	
プリンシドフォビル注射剤	造血幹細胞移植後免疫不全患者の アデノウイルス感染症	USA, UK	▶			
	腎臓移植後 BKウイルス感染症	Japan, Australia	▶			
	CMV感染GBM	USA	(前臨床試験進行中)			

パイプラインの拡充と価値向上を使命とする 製品戦略本部の役割

シンバイオは現在、グローバル・スペシャリティファーマへ飛躍するための「仕込みの時期」にあります。この大きな転機にあって、新設の製品戦略本部の役割はひとこと言え、パイプラインを整えてその価値を増大させることです。すなわち、既存のパイプラインであるトレアキシン®、リゴセルチブの開発推進に加え、次のグローバル製品であるプリンシドフォビルの開発を成功させることが目下の最大の使命です。また、これらの事業活動と並行して世界中の化合物を探索、評価し、まだ見ぬ新薬の候補品を獲得していくことも、持続的な事業価値増大のために極めて重要な役割です。

ライセンスインと共同研究 2つの方策でパイプラインを拡充、強化

自前の研究開発拠点を持たないシンバイオにとって、パイプラインの拡充のための方策は2つあります。ひとつは既存の品目に続く新規候補品の探索、評価です。世界中の製薬企業やバイオベンチャーで研究されている数多くの化合物から、当社の企業使命に合致するものを探してきてライセンスインの考え方にに基づき取り組んでいきます。

もうひとつは既存のパイプラインを含めたアカデミアとの応用研究・共同研究です。さらなる適応症への拡大の可能性を検討し、パイプラインの拡充、強化に努めています。

プリンシドフォビルの開発は 3つの「空白の治療領域」を優先的に進行

プリンシドフォビル開発については、シンバイオファーマUSAが拠点となり、3つの適応症について推進しています。アデノウイルス感染症については、米国に続き英国で臨床試験を開始しています。また、2022年12月期第2四半期には、腎臓移植後のBKウイルス感染症を適応症とした臨床試験を日本とオーストラリアで開始する予定です。また、サイトメガロウイルス (CMV) による脳腫瘍 (GBM) を適応症とした前臨床試験についても、米国において準備を進めています。これら3つの適応症は、未充足度の極めて高い「空白の治療領域」であり、一日も早く同剤を患者さんにお届けする必要があると考えています。

スピード感と使命感 シンバイオの強み

シンバイオには、2005年にトレアキシン®を候補品として見出し、導入から上市までを5年間という極めて短期間で達成した実績があります。臨床試験の実施や承認取得、適応症の拡大、剤形追加といった難度の高い事業を計画的に遂行してきたノウハウを、プリンシドフォビルの開発にも活かしていきます。既にライセンス獲得から臨床試験開始までのプロセスが迅速に実行できており、シンバイオの強みであるスピード感が発揮できています。同剤のグローバル開発が軌道に乗れば当社のパイプラインの価値は飛躍的に増大すると見込んでいますが、第二、第三のグローバル開発品の獲得も視野に入れ、持続的な成長に向けて歩んでいきます。

幅広いスペクトラムを持つ ブリンシドフォビル開発の方向性

POINT

- ・グローバル市場への事業展開
- ・複数のターゲット疾患の取り組み
- ・新しい治療領域への挑戦



≪ 4つの領域でPOC※2 確立を目指す ≫

ブリンシドフォビルが高い活性を示す①アデノウイルス、②BKウイルス、③サイトメガロウイルスについては、それぞれの適応症を決定の上、臨床試験の実施、準備を進めています。④EBウイルスについては、適応症となりうる疾患の患者数が極めて多く、確立した治療法もないため、鋭意開発に取り組んでいきます。

※2: POC (Proof of Concept) …新薬候補物質の有効性や安全性を臨床で確認し、そのコンセプトの妥当性を検証すること。

ブリンシドフォビルの可能性・1

臓器移植後のウイルス感染症の治療薬として

ブリンシドフォビルは極めて高い抗ウイルス活性と抗がん活性を持ち、幅広いスペクトラムを有したユニークな新薬です。当社で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開発が先行していますが(上図①)、次に開発着手しているのが腎臓移植後のBKウイルス感染症です(上図②)。腎臓を含めた臓器移植件数は全世界で増加傾向にあります。移植後の免疫力が低下した状態で発症するウイルス感染症については治療法が確立されていません。腎移植は末期腎不全の唯一の根治療法であり、移植後の患者さんの大切な移植腎をウイルスから守るためにも、一日も早い感染症治療薬の開発が望まれています。

ブリンシドフォビルの可能性・2

がん領域での開発も進行

がんの発生にはさまざまな要因がありますが、そのひとつにウイルス感染があります。たとえばがんの中でも特に予後が悪いとされる脳腫瘍の場合、約半数の患者さんがサイトメガロウイルスに感染していたとする報告が多くあります※1。

脳腫瘍についてはメガファーマを中心に数多くの治療薬が開発されていますが、サイトメガロウイルスをターゲットにした治療薬はありません。ブリンシドフォビルはサイトメガロウイルスに対する高い活性を有しており、当社では脳腫瘍を適応症としてがん領域での開発にも着手しています(上図③)。

※1: OncoImmunology. 2019; 8(1)

患者数が多く治療法のない

新しい領域への挑戦

今後の開発の方向性として、シンバイオでは、ブリンシドフォビルが複数の神経疾患の新薬となりうる可能性に着目しています(上図④)。ブリンシドフォビルが高い抗ウイルス活性を示すEBウイルスが、これまで原因不明とされてきた複数の神経疾患の要因であることがわかってきたのです。その一例が、欧米を中心に約300万人もの患者が存在する多発性硬化症です(右コラム参照)。

治療法の確立されていない領域への挑戦はシンバイオの企業使命とも合致します。引き続き同剤のポテンシャルをフル活用し、持続的成長につなぐべく事業推進していきます。

世界に約300万人の患者がいる 多発性硬化症とは

2022年1月13日発行の「サイエンス」誌に、ハーバード大学の研究チームによる一本の論文が掲載されました。原因不明の難病である多発性硬化症の主要発症因子がEBウイルスであることを解明したという研究結果です※3。また、1月24日発行の「ネイチャー」誌では、スタンフォード大学の研究チームが、EBウイルスと多発性硬化症発症の作用機序を解明したとする論文が掲載されました※4。

多発性硬化症とは自己免疫性神経疾患の一種で、再発と寛解を繰り返す原因不明の難病とされています。治療は免疫調整剤などによる多剤併用療法のほかに方法がなく、メガファーマ各社が取り扱う治療薬の上位5社の売上高合計は1兆5千億円を超える規模となっています。

これらの論文では抗ウイルス薬によりEBウイルスを直接標的にできる可能性が示唆されています。ブリンシドフォビルはEBウイルスに対して極めて高い抗ウイルス活性を持っており、シンバイオでは将来的に、多発性硬化症を適応症とした開発も視野に入れています。

※3: Science, 375, 6578, (296-301), (2022).
<https://www.science.org/doi/10.1126/science.abj8222>

※4: Nature (2022).
<https://doi.org/10.1038/s41586-022-04432-7>

「製薬」を社名に掲げた シンバイオのユニークさ



松田 修一様

早稲田大学名誉教授 商学博士
日本ベンチャー学会顧問

まつだ・しゅういち●1973年、監査法人サンワ事務所(現有限責任監査法人トーマツ)入社。1991年早稲田大学アジア太平洋研究センター教授。2012年同大学名誉教授。ウエルインベストメント(株)取締役会長他3社の社外役員、文部科学省、経済産業省の各種委員等。

会社の中に入って 一緒に苦労してみたい

吉田社長がシンバイオ製薬を創業されたとき、私が社外取締役をお引き受けしたのは、これは面白い会社だ、日本の特異なケースになると思ったからです。

シンバイオは社名に「製薬」と掲げているところからして、他の創薬系バイオベンチャー企業とはひと味違うのですが、それはビジネスモデルがまったく異なっているからでした。当時数多く創業していたバイオベンチャーの一般的なビジネスモデルとは、大手製薬会社と提携し、開発中はマイルストーン収入、上市後はロイヤリティ収入を得るというものでした。一方シンバイオは当初から自社で製薬・販売まで手掛けることを視野に入れていました。また、希少疾患の「空白の治療領域」をターゲットとして、短期間

のうちに複数の医薬品を収益の柱にしていくといった成長ストーリーも非常に明確でした。私はここにも非常に興味があって、これはぜひ会社の中に入って皆さんと一緒に苦労しながら、変化していくのを見届けたいという思いがありました。

グローバル展開にあたり 新しい組織体制と人材に期待

シンバイオがこのたび、日本国内の製薬企業として黒字化を達成できたのは、「空白の治療領域」にいち早く新薬をお届けするという理念のもと、ブレることなく一丸となって進んできた証だと思えます。大手製薬企業が参入しにくい希少疾患領域で、開発プロセスから営業体制の構築まで、製薬ビジネスの知見を着実に蓄えてきました。日本の医薬品市場は国民皆保険制度と深く関わっており、制度自体は優れていますが、起業家の視点に立つと挑戦しにくい市場になっています。今後、シンバイオには日本で培った開発力、組織力、知見にひと味違った能力を加えた体制のもと、グローバル市場でもう一段の飛躍をしていただきたいと思えます。

折しも「第二の創業期」にあたり、プリンシドフォビルという世界で勝負できる新薬の開発が始まりました。製薬会社としての面白さ、ユニークさを有したシンバイオが、これからグローバル市場においてどのように成長していくのか非常に楽しみです。

バイオ企業の事業活動は まるで総合格闘技



渋澤 祥行様

JAFCO Investment (Asia Pacific) Ltd
President & CEO

しぶさわ・よしゆき●ジャフコグループ株式会社に入社以降、29年間一貫してベンチャー・キャピタル(VC)投資に従事。2012年以降はシンガポールに活動拠点を移し、現在は中国・台湾・インド・東南アジアなどアジア諸国におけるVC投資に関与。

創業当初は、投資家の意識との ギャップを埋めるために苦心

私が投資家としてシンバイオ製薬に初めてコンタクトしたのは、同社の創業間もないころでした。ベンチャー投資の主要領域としてライフサイエンス分野を位置づけ、リサーチするなかで同社を知り、グローバルクラスの高い経営力と事業構想力を感じました。結果として創業1年後に10億円という、一度の出資金額としてはかなり大型の投資に至りました。

当時は投資家側にもまだ十分な成功体験がなかったこともあって、バイオ企業の本質やリスクに対する考え方、シンバイオが掲げる事業構想の間に大きなギャップがありました。世界のダイナミズムを知る吉田社長は、自社の成長シナリオを投資家に正しく伝え、共感と同意を得るのに

苦労されていました。私も吉田社長のような起業家の方々とともにライフサイエンス投資領域の産業化に懸命に取り組んだ時期でした。

数々の困難を乗り越えたすべての ステークホルダーの皆様に最大の敬意を

バイオ事業は、医薬品としての承認をひとたび得れば世界中に需要があり、患者数や薬価などのデータに基づいて一定程度、定量的に予測が可能です。他方、開発過程では多額の資金が必要で、初期には大型の赤字を伴います。「死の谷」とも表現されるように事業化までの開発リスクが他事業に比べて高いとされます。さらには、シンバイオの歴史は事業特有のリスクに加え、リーマンショックのような世界的な金融危機に端を発する資金調達困難との闘いでもありました。

私は、バイオ企業の事業活動はいくつものプロフェッショナルリティを必要とする総合格闘技のようだと感じています。アカデミックな専門性はもちろんのこと、社会のニーズをつかむマーケティング力、メガファーマを含む他企業との折衝力、資金調達のためには金融プレイヤーとしての手腕までも問われます。さらには高い志や骨太の理念、しっかりした規律も求められます。シンバイオは創業からの17年でこれらをすべて乗り越え、黒字化を達成されました。吉田社長と役職員の皆様、株主の皆様を含めたすべてのステークホルダーの方々に最大の敬意を表したいと思います。