



シンバイオ製薬株式会社

Vol.  
15

第14期 2018年1月1日~2018年12月31日

SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

社長メッセージ

自社販売体制の構築始動を機に  
持続的成長に向けて加速

特集 キーパーソンに聞く

医学博士 ブルース・D・チェソン

「副作用の少ないトレアキシン®は  
患者さんにとって大きなメリットがある」



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。

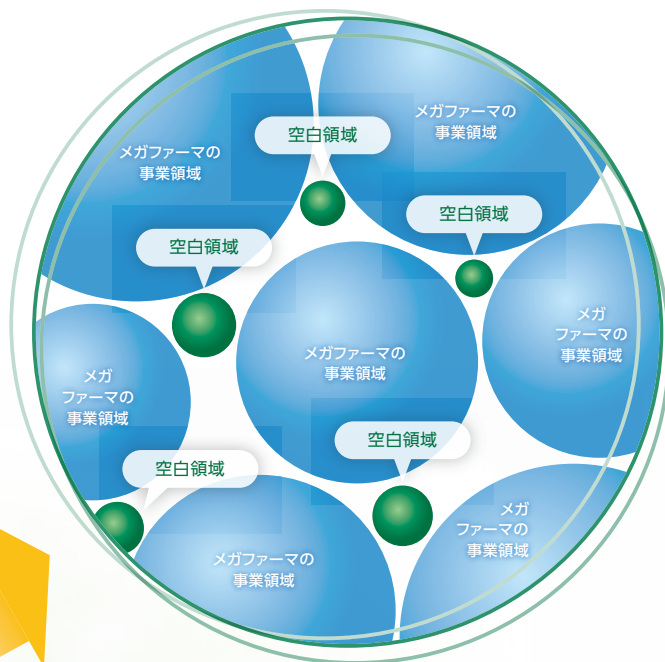
### 卓越した独自の医薬開発モデルを実現

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

トリアキシン®の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」



### 経営理念

## 共創・共生

(共に創り、共に生きる)

医師

科学者

患者

開発資金  
提供者

行政

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。



## 自社販売体制の構築始動を機に 持続的成長に向けて加速

黒字化と持続的成長を確かなものにする  
中期経営計画を策定

代表取締役社長兼 CEO

佐田 文昭

### トリアキシン®が標準療法となった2018年度は —“Turning Points”：成長期への転換の年—

2018年7月、当社の開発1号品である抗がん剤「トリアキシン®（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）」が、標準療法として「造血器腫瘍診療ガイドライン 2018年版」に収載されました。新薬の標準療法化の意味合いは大変大きなものです。病院の先生方が患者さんを目の前にして、まず始めに提案すべき治療となったということなのです。これは長年にわたる開発戦略と投資の成功というチャンスに恵まれて初めてなしえることです。

当社の事業モデルは、欧米各国においてPOC※1が確立された薬を選択することで開発リスクを軽減し、より高い成功確率でもって、1日でも早く日本国内の患者さんにお届けするというものです。この事業モデルによって、短期間のうちにトリアキシン®を標準療法にまで育てあげられたことは、私どもにとりまして大きな喜びであります。

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

### 2021年度の自社販売体制スタートと 黒字化に向けた新しい組織体制への移行

これまで当社は開発体制を重視するために、イーザイ社の協力を得てトリアキシン®の販売をしてきましたが、あらゆる選択肢を慎重に検討した結果、2021年に向けて自社販売体制を構築する決断に至りました。最重要経営課題である2021年度の黒字化の達成、その後の収益拡大を目的とし、また、トリアキシン®が持つ事業価値を自社でお伝えすることが、患者さんの利益に資するとの判断によるものです。

2019年、2020年の2年間は、成長フェーズへの準備の総仕上げの年となります。株主の皆さまには今後の成長にぜひご期待いただきたいと思います。

次頁

中期経営計画(2019-2022)および  
新しい組織体制について

## 持続的成長を確保し、 日本初のスペシャリティ・ファーマへ トレアキシン®の標準療法化と自社販売体制の構築で 黒字化を目指す

バイオ企業の  
成功率（黒字化率）は  
かなり低い！

参考データ

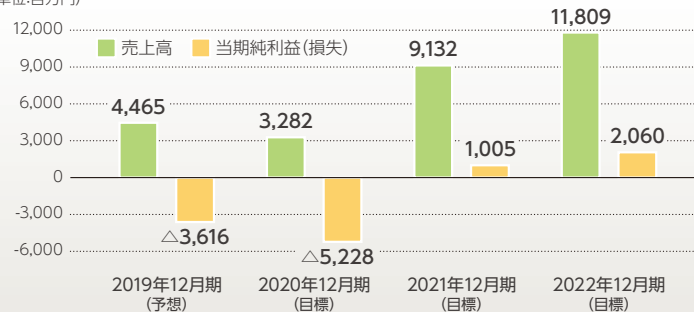
米国での成功率

60~70社 /  
約3,000社 = 約**2%**

シンバイオは  
日本国内で黒字化の  
“一番乗り”  
を目指す

### ○ 中期経営計画 (2019-2022)

(単位:百万円)



## 計画達成のカギとなる5つのKSF (重要成功要因)

### ① 自社販売体制の構築

2020年12月にエーザイ社とのトレアキシン®の販売に関する事業提携契約が満了となることに伴い、その後の販売体制について患者さんのメリットはもちろん、収益面でも何がベストなのかという視点で検討し、自社販売体制を決定しました。自社販売体制へ移行することにより、トレアキシン®が持つ事業価値がすべて当社に残ることになります。黒字化の成功は日本のバイオベンチャー初となり、当社は2021年の時点で2桁の営業利益率を見込んでおります。

### ② トレアキシン®年間売上高100億円達成

当社では以前から黒字化へのターニングポイントとして「薬価ベースで年間売上高100億円」を意識してきましたが、トレアキシン®の標準療法化によって、それは達成できるものと確信しています。新薬の開発は、研究所から始ま

り、最終的に承認を得て患者さんに届く確率が3万分の1という厳しい世界であり、バイオの本場というべき米国においてさえ、利益を出している企業はわずか2%ほどしかありません。シンバイオは日本においてそのトップ集団に最も近い存在といえます。

### ③ トレアキシン®液剤の承認と切り替え

液剤は医療従事者や患者さんへの負担が軽く、極めてニーズの高い剤形で、すでに米国においては広く使われております。当社では現行の凍結乾燥注射剤に比べて利益率の高い液剤 (RTD製剤・RI製剤※2) の開発も着実に進めております。当社がトレアキシン®の凍結乾燥注射剤を独占的に販売するのは2020年までですが、液剤に切り替えることにより、その後は2031年まで特許により保護された期間があるため、製品寿命が大幅に延長されます。

※2 RTD製剤・RI製剤:

すでに液化され、溶解・希釈作業が不要な製剤 (Ready to Dilute) および、投与時間が大幅に短くなる急速静注製剤 (Rapid Infusion)。

## ○ 計画の達成に必要となる 5つの Key Success Factors (重要成功要因)

- 1 自社販売体制の構築
- 2 トレアキシン® 年間売上高100億円達成
- 3 トレアキシン® 液剤の承認と切り替え
- 4 トレアキシン® r/r DLBCL適応症の承認
- 5 優秀な人材の確保

### 4 r/r DLBCL適応症の承認

r/r DLBCL<sup>※3</sup>は悪性リンパ腫の中でも最も患者数が多い病型であるにもかかわらず、いまだ優れた治療薬のない「空白の治療領域」です。当社ではこれを適応症とした承認取得を2021年に目指しており、この適応症承認によってトレアキシン®の市場規模をさらに広げていきます。

### 5 優秀な人材の確保

現在、自社販売体制の核となる人材採用にも注力し、順調に体制構築が進んでいます。トレアキシン®に続く第2の製品となるリゴセルチブも同じ血液領域の治療薬であるため、専門性が高い強固な販売プラットフォームを構築しておくことにより、リゴセルチブを発売する際に同じ販売プラットフォームにより営業担当を増員することなく効率的に売上拡大を図ることができます。

※3 r/r DLBCL:

再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫(Relapsed/Refractory Diffuse Large B-cell Lymphoma)。悪性リンパ腫の約3分の1を占める病型。

## ○ 成長フェーズを前に 3本部/3執行役員体制へ移行



日本事業本部  
代表取締役副社長  
兼 CCO  
浅川 一雄



開発本部  
執行役員  
兼 CDO  
石田 信生



経営管理本部  
取締役  
兼 CFO  
村田 賢治

## 3本部/3執行役員体制で 統制の効いた経営と部門間の相乗効果を狙う

当社は2018年10月に、3本部/3執行役員体制に移行しました。分権化を図ることにより、3人の執行役員が強いガバナンス意識を持ち、適正な統制をもって経営にあたることを狙ったものです。

また、3人の執行役員が強いリーダーシップを発揮し、3本部間で密接な連携を取ることによる迅速で的確な意思決定を期待しています。

株主の皆さまには、引き続き当社事業へのご理解・ご支援を賜りますようお願い申し上げます。

代表取締役社長兼 CEO

吉田 文紀

# バックボーン療法の強みをフルに活かした シンバイオの事業戦略

悪性リンパ腫の領域において、トリアキシ<sup>®</sup>は標準療法として推奨されたことにより、その地位はますます強固なものになりました。すでに欧米各国では、トリアキシ<sup>®</sup>を用いた療法(B療法・BR療法)にさまざまな新薬を併用する研究開発が盛んに行われています。トリアキシ<sup>®</sup>は名実ともに悪性リンパ腫治療のバックボーン(根幹)となっており、シンバイオはこの強みを活かし、さらなる事業価値の創造を図ってまいります。

トリアキシ<sup>®</sup>が標準療法として記載された  
「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」



## 標準療法化とライフサイクル・マネジメントを 基盤とした事業展開

標準療法とは、科学的根拠に基づき、現時点で最良の治療であることが示されたものをいいます。このたびトリアキシ<sup>®</sup>は標準療法として「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」に記載されました。これは、悪性リンパ腫の治療領域において、従来の標準療法であるR-CHOP療法に比べてトリアキシ<sup>®</sup>の優位性が極めて高いことを意味します。

また、製薬におけるライフサイクル・マネジメントとは、医薬品の価値を最大限に活かす施策のことです。シンバイオは、適応症の拡大のみならず、液剤への切り替えによりトリアキシ<sup>®</sup>の製品寿命の延長を図ってまいります。

## 新しい適応症の追加で トリアキシ<sup>®</sup>の潜在市場規模は拡大

2021年に新しく承認取得を見込む r/r DLBCLは、悪性リンパ腫の中でも患者数が多く、優れた新規治療法がない領域です。まさに「空白」であるこの領域でトリアキシ<sup>®</sup>の適応症追加の承認が取得された後には、大幅に市場規模が拡大する見込みです。

### 2021年の承認取得後は潜在市場規模が拡大する見込み



参考: CancerMpack<sup>®</sup>、国立がん研究センター、一般社団法人日本血液学会



トレアキシン®の  
持続的成長と  
事業価値の創造

既存  
適応症

+

新規  
適応症

+

B(R)+X  
新薬Xとの  
併用

患者・医療従事者の負担が少なく  
利益率の高い  
液剤への切り替えを推進



標準療法化

現時点で最良と認められる治療法になること

悪性リンパ腫の中でも  
発症率が高く、高齢者に多い  
r/r DLBCLを対象に試験が進行



ライフサイクル・マネジメント

医薬品の価値を最大限に活かす施策

新規開発品と  
ベンダムスチン、リツキシマブとの  
併用療法での開発が活発化



## 新薬“X”との併用療法開発の活発化は バックボーンと認められたことの証

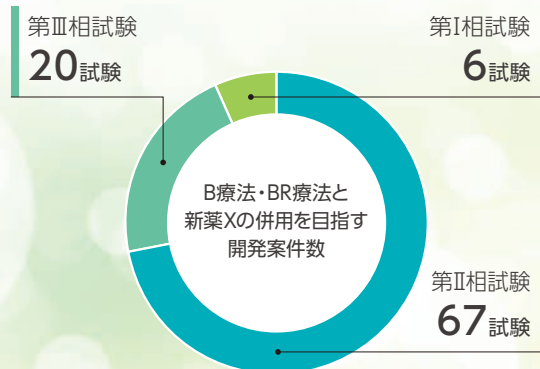
欧米では悪性リンパ腫の治療領域において、ベンダムスチン単体(B)、またはリツキシマブとの併用(BR)がすでに標準療法となっています。現在、欧米の多くの製薬企業において新薬の開発が進んでおり、これらの多くはB療法またはBR療法との併用での開発です。他社による新規療法の開発が活発化している事実は、トレアキシン®がなくてはならないバックボーン(根幹)と位置づけられていることの証といえます。

また、当社は2018年9月、トレアキシン®を再生医療等製品の処置に使用可能とするための一部変更承認申請を行いました。この承認後には、CAR-Tをはじめとする再

生医療の分野においても患者さんの治療に貢献できることとなります。

### ◎ 欧米では100近くの開発案件が進む

トレアキシン®が悪性リンパ腫の治療領域でバックボーンと位置づけられていることの証といえます。



参考: Citeline

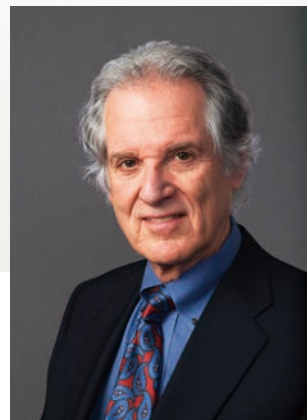
## トリアキシン®は悪性リンパ腫治療戦略の バックボーンとなっています

副作用の少ないこの療法は患者さんにとって  
大きなメリットがある

医学博士 当社取締役

ブルース・デビッド・チェンソ

ジョージタウン大学病院 血液腫瘍科主任教授。  
2001年にリンパ腫研究財団 科学諮問委員会  
(現任)、2019年3月より当社取締役(社外)。



チェンソ博士は、1999年に世界で初めて悪性リンパ腫の効果判定基準を定めるなど、この治療領域における最も著名な研究者の一人です。

また、ベンダムスチン(トリアキシン®の一般名)を世界に紹介したことで知られるチェンソ博士が2019年3月、シンバイオの取締役に就任しました。

### チェンソ先生の最近の主な活動と、 シンバイオとの関係について教えてください。

私は現在、4つの悪性リンパ腫においてさまざまな臨床試験に携わっています。化学療法と新しい薬剤との組み合わせを試したり、化学療法同士の組み合わせを試すことで、より効果的な治療法を開発しています。シンバイオと私の関わりも長年にわたります。吉田社長とは緊密に仕事を

してきましたし、近しい友人として、プロとして、この関係性を大切にしてきました。

### ベンダムスチンがリンパ腫治療の バックボーン(根幹)になると思われた理由は?

ずいぶん昔のことですが、ドイツの学会に出席しようとしていたとき、出発前にある製薬会社から電話がありました。ベンダムスチンという薬についてプレゼンテーションを聴いてほしいというのです。「ベンダムスチン? それは何だ?」と思いましたが、聴いてみると素晴らしいデータが揃っていたのです。その会社の依頼は、そのデータがドイツ語圏以外の研究者が理解できないという問題を、リンパ腫の研究者として手助けしてほしいというものでした。翌年、リスボンでの学会でベンダムスチンに関する研究が発表され、専門家からは、どうやって



この治療薬を世界に紹介したらよいのかと聞かれました。それで私はある米国企業に紹介し、開発が始まりました。その後、2008年には米国においてベンダムスチン単体によるB療法、リツキシマブとの併用によるBR療法が承認取得されました。

現在、米国のリンパ腫治療におけるベンダムスチンの浸透率は75%を超えます。ベンダムスチンはR-CHOPなどの療法に比べて副作用が非常に少ない薬で、これからも悪性リンパ腫の治療戦略のバックボーンになることがわかります。副作用の少ないことから、米国では広く使われているのです。

私は15年以上にわたり、化学療法を使わないレジメンを開発してきました。確かに化学療法を使わない有効な薬剤を2004年に開発できたのですが、効果のない患者さんがいました。しかしその中には、15年間、ベンダムスチンによる治療が効果を上げ続けている患者さんがいます。化学療法なしの治療法では効果がない患者さんにとって、ベンダムスチンは命を救う薬であるといえます。

## シンバイオの取締役に就任されました。 スペシャリティ・ファームを目指す当社への期待は？

スペシャリティ・ファームの重要性は増えています。スペシャリティ・ファームは患者さんのニーズをより正確に把握することができますし、患者さんは薬を探し回らなくてすむのです。その分野をシンバ



アイオが手掛けることは称賛に値します。患者さんにとっても最大の利益になるでしょう。



2019年2月、東京・大阪・名古屋の3都市において開催された「Meet the Expert for Indolent Lymphoma」の様子。チェン博士は特別講演を行い、がん領域の多数の専門家が参加しました。

## 闘病中の患者さんと そのご家族にもメッセージをお願いします。

私の友人の話をしましょう。彼女のご主人は医師なのですが、ある時、夫婦で食事中、隣の席のカップルも医療関係者と分かって話が始まりました。聞けば、奥さんがリンパ腫を発症したけれども、ベンダムスチンによって治癒したのだそうです。彼女は「この薬を米国に持ち込んでくれたドクターに感謝している。それは誰なんだろう?」と話していたそうです。

悪性リンパ腫治療の研究は大きく進展しています。リンパ腫の患者さんには、希望を持つことが大事であるとお伝えしたいと思います。

## トレアキシン®を中心に、既存パイプラインの収益の最大化を図る

企業価値を高めるためには、新しい開発候補品の導入だけでなく、既存の開発品目あたりの収益の最大化を図ることが重要となります。これをライフサイクル・マネジメント戦略といいます。トレアキシン®のライフサイクル・マネジメント戦略の主な取り組みは「適応症の拡大」「剤形の追加」です。①現在、トレアキシン®の4つめの適応症であるr/r DLBCL承認に向けた

開発が進んでいます。②液剤・経口剤の開発も進行中です。これにより製品寿命が長くなり、製品の持続的成長に貢献します。③リゴセルチブについても、優れた治療薬の少ないMDS（骨髄異形成症候群）の領域において注射剤・経口剤の開発が順調に進捗しており、今後、発売されれば、トレアキシン®に続く大きな収益の柱となる見込みです。

### ① 開発パイプラインの状況

(2019年2月7日現在)

品目	適応症	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請	承認	
トレアキシン® FD製剤	再発・難治性 低悪性度NHL/MCL	2010年10月 承認済					
	慢性リンパ性白血病 (CLL)	2016年 8月 承認済					
	未治療 低悪性度NHL/MCL	2016年12月 承認済					
	再発・難治性 びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (r/r DLBCL)	第III相試験開始 症例登録中			①		
トレアキシン® RTD製剤	全適応症	承認申請準備中					
トレアキシン® RI製剤	全適応症	2018年11月 臨床試験開始					
トレアキシン® (経口剤)	進行性固形がん	第I相試験開始 症例登録中					
	全身性エリテマトーデス (SLE)	前臨床試験開始					
リゴセルチブ (注射剤)	再発・難治性 高リスクMDS	国際共同第III相試験 症例登録中					
リゴセルチブ (経口剤)	再発・難治性 高リスク MDS	単剤	第I相試験開始 症例登録中				
	未治療 高リスク MDS	アザシチジン併用	準備中				
	未治療 高リスク MDS	アザシチジン併用	国際共同第III相試験 準備中				

## トレアキシン®の販売拡大により4期連続の増収

2018年12月期の売上高は、トレアキシン®の製品販売などにより製品売上が前期比10.6%増加したことから、全体で11.4%の増加となりました。

販売費及び一般管理費は、トレアキシン®、リゴセルチブの臨床試験の費用発生などにより、研究開発費(前期比39.3%減)と、その他の販売費及び一般管理費(前期比1.8%増)を計上し

たことによって、前期比23.1%減となりました。

これらの結果、当期純損失は2,752百万円となりました。2018年12月末における現金及び現金同等物は、税引前当期純損失の計上により減少したものの、新株の発行などにより、前事業年度末に比べ1,874百万円増の4,821百万円となりました。

(単位:百万円)	2015年12月期	2016年12月期	2017年12月期	2018年12月期	2019年12月期 (見込み)
売上高	1,933	2,368	3,444	3,835 (前期比+11.4%)	4,465
研究開発費	2,034	1,667	3,017	1,832 (前期比-39.3%)	2,508
当期純損失	△ 2,632	△ 2,313	△ 3,977	△ 2,752	△ 3,616

(注)記載金額は百万円未満を切り捨てております。

## 応援の声をいただいています

個人投資家の皆さまからいただいたメッセージの一部をご紹介します。



トレアキシン®、リゴセルチブ共に多くの患者さんを救う薬だと思います。貴社の自社販売の決断を支持しております。2021年以降の黒字化は全株主の夢だと思います。



以前、製薬会社に勤務しておりました。当方、昨年がんに罹患し、抗がん剤の研究でリードする貴社に対し魅力を感じています。長期保有するつもりです。



看護師です。現場でトレアキシン®を扱っており、液剤は溶解不要、点滴時間が短いという点で期待しています。長期の投資目的で株主になりました。いつか貴社の努力が株価に反映されると思っています。



個人株主です。母が悪性リンパ腫になり、調べているうちに貴社に興味を持ちました。自社販売を決断されたので、真の製薬会社に羽ばたいてください。

## ◎ 会社概要 (2018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	129億7,257万円
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 (2019年3月28日現在)

代表取締役社長兼 CEO	吉田 文紀
代表取締役副社長兼 CCO	浅川 一雄
取締役兼 CFO	村田 賢治
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)	ロックフォード・ダグラス・ノービー
常勤監査役(社外)	渡部 潔
監査役(社外)	遠藤今朝夫
監査役(社外)	海老沼英次

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。



**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。

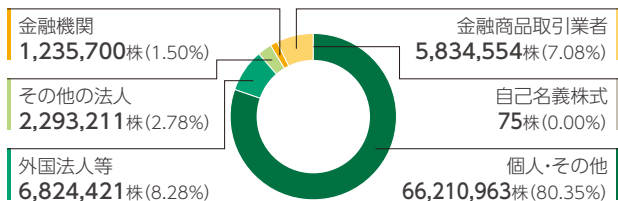
## ◎ 株式の状況 (2018年12月31日現在)

発行可能株式総数	167,000,000株
発行済株式の総数	82,398,924株
株主数	31,858名

株主名	持株数 (千株)	持株比率 (%)
吉田 文紀	3,451	4.19
CEPHALON, INC.	2,589	3.14
松井証券株式会社	1,238	1.50
日本証券金融株式会社	1,225	1.49
エーザイ株式会社	833	1.01
J.P.Morgan Securities plc	695	0.84
早稲田1号投資事業有限責任組合	684	0.83
藍澤証券株式会社	606	0.74
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC)	600	0.73
BNP PARIBAS LONDON BRANCH FOR PRIME BROKERAGE CLEARANCE ACC FOR THIRD PARTY	583	0.71

(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 (2018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 JASDAQ グロース
公告の方法	電子公告により行う <a href="https://www.symbiopharma.com/">https://www.symbiopharma.com/</a>

※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。