SymBio
シンバイオ製薬株式会社

Vol. 14

第14期　2018年1月1日～2018年6月30日

SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

社長メッセージ

2021年度の自社販売体制による黒字化への取り組みに向けてキックオフしました

特集

トレアキシンを核とした成長戦略

東証JASDAQ上場 TOKYO STOCK EXCHANGE LISTED JPX

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収益を高めます。

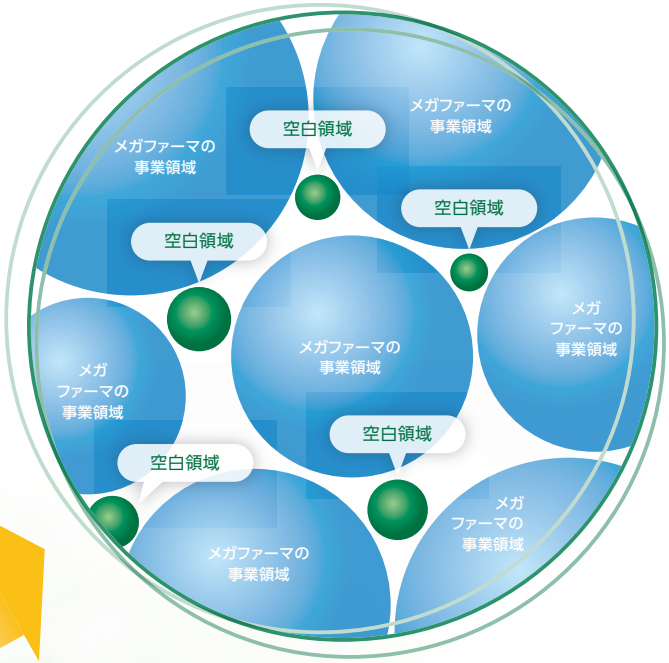
卓越した独自の新薬開発モデルを実現

スペシャリストが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

トレアキシン®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」



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、医療への貢献、そして医薬品業界の健全な発展に寄与します。

2021年度の自社販売体制による黒字化への取り組みに向けてキックオフしました

適応症拡大および新剤形開発で製品ライフサイクル・マネジメント戦略を強化する

代表取締役社長兼 CEO 芝田大紀

※自社販売体制の構築については、2018年10月16日付リリース「抗悪性腫瘍剤『トレアキシン®』の自社販売に向けた準備開始のお知らせ」をご覧ください。

2018年度上半期の進捗

トレアキシン®が名実ともに標準療法に

2005年3月に創業した当社は、当時10数個あった新薬候補品から、抗がん剤であるトレアキシン®（一般名:ベンダムスチン塩酸塩）を選択し、2006年12月に、日本で初めての臨床試験に臨み、以来、約12年間で非常に多くの経営資源を投じてきました。そして、2018年7月に一般社団法人日本血液学会が編集し発行した「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」において、念願であったトレアキシン®が悪性リンパ腫における標準的治療の選択肢として新たに収載されました。

悪性リンパ腫の領域において、従来の標準療法R-CHOPよりも優位な有効性および安全性を示すトレアキシン®とリツキシマブとの併用療法（BR療法）が本ガイドラインによって標準的治療の選択肢として推奨されたことにより、トレアキシン®が名実ともに悪性リンパ腫における標準療法としての位置づけを確立したといえます。

業績面では、トレアキシン®の国内売上は、薬価ベースで前年度上半期比22%増の約41億円となりました。

パイプラインも大きく進展

パイプラインに関しても大きな進展がありました。トレアキシン®の4つ目の適応症となる再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫（r/r DLBCL）においては第Ⅲ相試験の症例集積が順調に進んでいます。また、トレアキシン®経口剤においては、進行性固形がんを対象とする第I相試験を開始し、2018年5月に最初の患者さんの登録が実現し、現在症例登録が進んでいます。調剤作業の低減や投与時間の短縮により患者さんと医療従事者の大幅な負担軽減が期待されるトレアキシン®液剤（RTD・RI製剤）に関しては、日本において2031年までの特許保護期間をもつ独占的ライセンス契約を2017年9月に締結して以降、RTD製剤は承認申請準備、RI製剤は臨床試験の準備をそれぞれ鋭意進めています。

当社のもう一つの柱であるリゴセルチブの開発も骨髄異形成症候群（MDS）を対象に着実に推進しています。注射剤は、オンコノバ社が進める国際共同第Ⅲ相試験が全体で360症例を目標に進行中で、日本では、当社に割り当てられている40症例の登録まであと一歩となっています。経口剤は第I相試験を実施中です。

事業価値最大化に向けた今後の取り組み

			進捗状況	Now & the Future »	
1 既存適応症の売上増大 2 新規適応症の拡大 3 新剤形RTD・RI製剤による製品ライフサイクルの延長	▶	売上の最大化		1 トレアキシン®の商業化に成功	▶ 売上高100億円、2021年度に自社販売体制による**黒字化**達成
		×		2 トレアキシン®が標準療法に	▶ 事業基盤が強固となり、事業の**持続的成長**へはずみ
				3 3つの承認（含適応拡大）取得済み	▶ 2つの臨床試験が進行中、**2020〜2021年に承認申請予定**
4 自社販売体制の構築 5 自社製造体制の構築	▶	利益の最大化	▶	4 トレアキシン®（BまたはBR）がバックボーン療法に	▶ 欧米において**160を超す新たな併用療法の開発**が進行中
				5 トレアキシン®液剤（RTD・RI製剤）のライセンスを取得	▶ 製品寿命が**2031年まで延長**
				6 リゴセルチブ注射剤は国際共同第Ⅲ相試験進行中	▶ 経口剤は**国際共同第Ⅲ相試験の開始を計画**

事業の持続的成長に向けた取り組み

2021年度の自社販売体制による黒字化達成に向けて

トレアキシン®は、2010年10月に最初の適応症である再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）が承認されて以来、薬価ベースで約48億円まで売上を伸ばしてきましたが、2016年12月に新たに未治療領域での適応症および同年8月に慢性リンパ性白血病が承認されたことをきっかけに、2017年度には約76億円まで大幅に増加しました。これでトレアキシン®が標準療法として位置づけられつつある流れをさらに推し進め、当社は早期に薬価ベースで売上を100億円台に乗せ、2021年度の自社販売体制による黒字化達成を目指します。

また、現在欧米で進められている160を超すトレアキシン®との新たな併用療法の開発も、当社が推進する製品ライフサイクル・マネジメント戦略を後押しする大きな追い風となるでしょう。既に抗CD20抗体医薬品（オビヌツズマブ）との併用に関する承認を取得し、さらに再生医療等製品（CAR-T細胞医療）の前処置に関する承認申請を行っております。

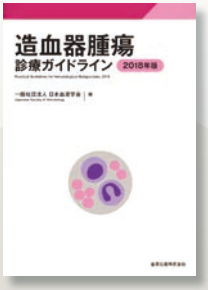
医療ニーズに応える企業でありつづける

創業から13年、当社は常に「空白の治療領域」に焦点を当てた新薬の開発・提供に取り組んできました。このような治療領域で承認を取ることにより、他に代わる優れた治療薬はなく早期に高い市場シェアを獲得することは可能です。また、競争がないため持続的に市場浸透を拡大することができるものと考えております。たとえ他社が同じ領域に挑戦する場合でも、既に標準療法として築かれた高い参入障壁を乗り越えることは容易なことではありません。

当社は、トレアキシン®とリゴセルチブについて、2020〜2021年の間に新薬の承認申請予定の3つの臨床試験を推進しておりますが、今後も医療現場のニーズを最優先に考えながら、探索した新薬のシーズを積極的に開発し、一日でも早く患者さんにお届けすることにより、持続的な成長を目指してまいります。

既存適応症の売上増大

「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」でトレアキシン®が標準的治療の選択肢として新たに収載



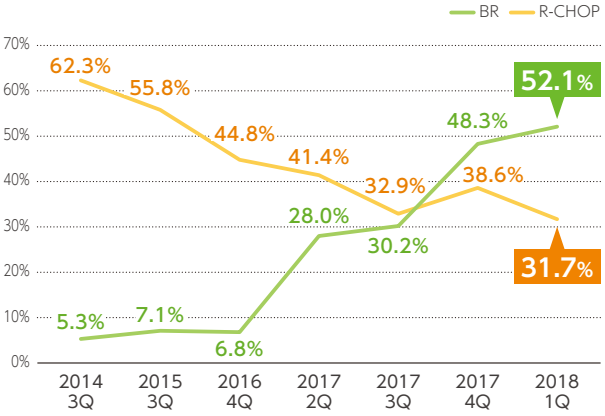
2018年7月に一般社団法人日本血液学会が発行した「造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版」において、トレアキシン®が標準的治療の選択肢として新たに収載されました。この改訂では、承認された3つの適応症である、未治療/再発・難治性低悪性度非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）、マントル細胞リンパ腫（MCL）および慢性リンパ性白血病（CLL）において標準的治療として推奨されています。このことにより、名実ともにBR療法が従来の標準療法に換わり、悪性リンパ腫における新たな標準療法としての地位を確立したといえます。

これまで悪性リンパ腫領域の標準療法は、リツキシマブとCHOPを併用するR-CHOP療法でした。リツキシマブは2001年に日本で承認された医薬品であり、CHOPにいたっては1970年代に開発された化学療法です。このことからもわかる通り、新たに開発された治療法が、これまでの治療法よりも有効性と安全性において優位であると証明され、標準療法として確立されるにはエビデンスの積み上げが必要で、非常に長い年月がかかります。その意味で、この度トレアキシン®が本ガイドラインによって標準的治療の選択肢として推奨されたことは大きなインパクトをもちます。この先、仮にBR療法に取って代わる新たな治療法が標準療法となるためには、このような高いハードルをクリアしなければならず、トレアキシン®の優位は長期にわたり続くことが予想されます。

今後当社は、トレアキシン®の適正使用を推進し、持続的な市場浸透によって悪性リンパ腫における新たな標準療法としてのBR療法の位置づけをさらに強固なものにしていくことを通じて、患者さんと医療現場への一層の貢献を目指してまいります。

BR療法市場浸透度

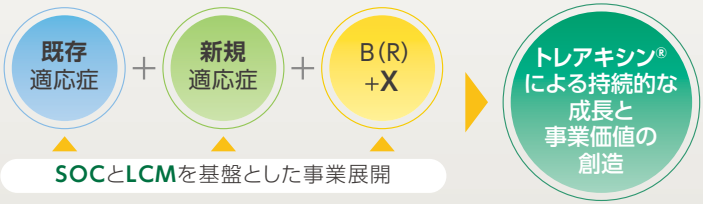
BR療法は未治療低悪性度NHL市場において
従来の標準療法を抜き**市場浸透率No.1**



出典: 定点使用実態調査

製品ライフサイクル・マネジメント戦略の強化

標準療法(SOC)の強みを最大限に活かし、製品寿命(LCM)を延長することで事業基盤の確立および持続的成長を実現



SOC >> Standard of Care:
標準療法。医学において、専門家に適切と認められ、広く使用されている治療法。医療提供者には患者への標準療法提供が義務づけられる。

LCM >> Life Cycle Management:
製品寿命。医薬品の価値を最大限に活かすため、適応症拡大、剤形追加などにより、市場独占期間を延長する施策。

新規適応症 新規適応症拡大・剤形追加により トレアキシン®の事業価値を増大

新たな適応症の承認取得を目指して第Ⅲ相試験が進行中

当社は、悪性リンパ腫の領域で標準療法としての地位を確立したトレアキシン®のさらなる価値向上のため、適応症拡大と剤形追加に積極的に取り組んでいます。

このうち適応症拡大に関しては、4つ目の適応症となる再発・難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫(r/r DLBCL)を対象とする第Ⅲ相試験の症例集積が順調に進行しています。

トレアキシン®経口剤の開発を開始

トレアキシン®経口剤の開発に関しても、進行性固形がんを対象とする第Ⅰ相試験を開始し、2018年5月に最初の症例登録を完了しました。現在国立がんセンターと近畿大学で順調に症例が集積されています。トレアキシン®は有効性のみならず、脱毛等の副作用が従来の化学療法に比べ少ないなど、安全性の面でも優れた特性を有しています。本試験は、この特性を経口剤にも活かし、患者さんに新たな固形がんの治療の選択肢を提供することを目指しています。経口投与により、自宅治療が可能になることで、患者さんの外来通院の負担軽減も期待できます。

さらに、トレアキシン®の全身性エリテマトーデス(SLE)に対する治療効果を確認することを目的とする臨床前試験を実施するため、学校法人慶應義塾(研究代表者:リウマチ・膠原病内科竹内勤教授)と共同研究契約を締結しました。本疾患は、日本国内の患者数が6～10万人と推定されている自己免疫疾患の一種であり、全身の多くの部位や臓器に障害をもたらす難病の一つです。現在治療の選択肢は限られており、この度開始した臨床前試験を早期に終了し、未充足の医療ニーズが高い本疾患を対象とした経口剤による臨床試験を計画しています。

トレアキシン®液剤(RTD・RI製剤)による製品ライフサイクルの延長

製品ライフサイクル・マネジメント戦略をより一層強力に推

進すべく、2017年9月にイーグル・ファーマシューティカルズ社（本社:米国ニュージャージー州）との間で、トレアキシン®液剤（RTD・RI製剤）の日本における独占的ライセンス契約を締結しました。これにより、特許保護を通じてトレアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することが可能となりました。調剤作業の低減や投与時間の大幅な短縮により患者さんと医療従事者の負担軽減が期待される液剤については、2021年度以降の販売に向けて、RTD製剤（点滴時間60分）は既に承認申請のための準備を開始し、RI製剤（点滴時間10分）も間もなく臨床試験が開始できる見込みです。

2018年10月には、国内販売について、自社による販売体制構築の準備を開始しました。

B(R)+X 悪性リンパ腫治療における バックボーンとしてのトレアキシン®

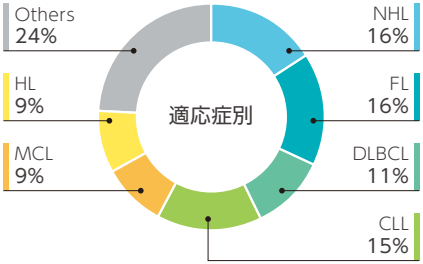
欧米では、2013年に従来のR-CHOP療法に比べBR療法の治療結果が優位であるという論文が発表されたことをきっかけに、いち早くBR療法が標準療法となっています。今後、新たな薬剤が標準療法として認められるためには、BR療法を超える有効性と安全性を証明しなければなりません。欧米各国の製薬会社では、BまたはBRと、新たな治療薬Xを併用した新規併用療法B(R)+Xの開発が活発に進められ、現在160以上の案件が進行中です。いわゆる「免疫療法」の領域においても、B(R)+Xの事例としてトレアキシン®と免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の開発が複数件進んでいます。

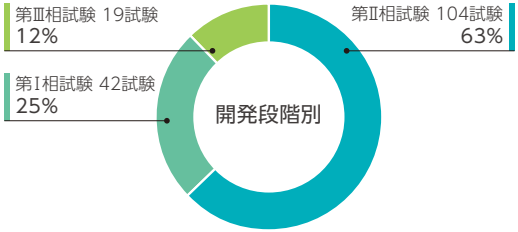
また、2018年7月には、低悪性度NHLの代表的な病型の一つである濾胞性リンパ腫（FL）の治療にトレアキシン®と抗CD20抗体医薬品（オビヌツズマブ）の併用療法が承認され、新たな治療選択肢の提供が可能となりました。

さらには、2018年9月に、再生医療等製品の前処置に関する一部変更承認申請を行いましたが、再生医療としてのキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）医療の承認後には、トレアキシン®が再生医療等製品（CAR-T細胞医療）の前処置として使用されることが可能となります。

こうしたBまたはBRをベースとした他社による新規療法の開発が活発に実施されているという事実は、トレアキシン®が悪性リンパ腫の治療領域におけるバックボーンとなったことの証といえます。当社は、今後もトレアキシン®による製品ライフサイクル・マネジメント戦略の強化を進めることで、製品の持続的成長とさらなる事業価値の創造に努めてまいります。

欧米における 悪性リンパ腫新規併用療法 B(R)+X開発の現状





参考: Citeline

会社概要

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	126億3,666万円
事業内容	特定疾病領域(がん・血液・ペインマネジメント) における医薬品の開発および商業化

役員

代表取締役社長兼 CEO	吉田　文紀
代表取締役副社長兼 CCO	淺川　一雄
取締役(社外)	松本茂外志
取締役(社外)	ジョージ・モースティン
取締役(社外)	ミルトン・グラナット
取締役(社外)	ロビン・キャンベル
常勤監査役(社外)	渡部　潔
監査役(社外)	一條　實昭
監査役(社外)	遠藤今朝夫

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。

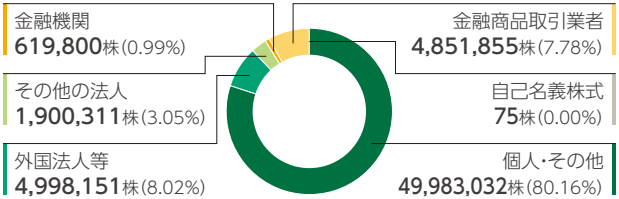
株式の状況 (2018年6月30日現在)

発行可能株式総数	167,000,000株
発行済株式の総数	62,353,224株
株主数	22,999名

株主名	持株数(千株)	持株比率(%)
吉田　文紀	3,120	5.00
CEPHALON, INC.	2,589	4.15
松井証券株式会社	926	1.49
大和証券株式会社	891	1.43
エーザイ株式会社	833	1.34
早稲田1号投資事業有限責任組合	684	1.10
CREDIT SUISSE AG, DUBLIN BRANCH MAIN EQUITY ACCOUNT	608	0.98
SMBC日興証券株式会社	607	0.97
株式会社SBI証券	599	0.96
日本証券金融株式会社	528	0.85

(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	三菱UFJ信託銀行株式会社
特別口座 口座管理機関	三菱UFJ信託銀行株式会社
同連絡先	フリーダイヤル: 0120-232-711 三菱UFJ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	〒137-8081 新東京郵便局私書箱第29号 三菱UFJ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 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。