

◎ **会社概要** (2017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 107億6,167万円
 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** (2018年3月29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 COO 浅川 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 貴昭
 監査役(社外) 遠藤今朝夫

ホームページのご案内 <http://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。

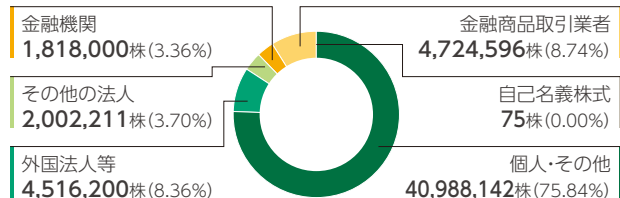
◎ **株式の状況** (2017年12月31日現在)

発行可能株式総数 167,000,000株
 発行済株式の総数 54,049,224株
 株主数 20,667名

株主名	持株数(千株)	持株比率(%)
吉田 文紀	3,120	5.77
CEPHALON, INC.	2,589	4.79
日本証券金融株式会社	1,812	3.35
松井証券株式会社	993	1.84
大和証券株式会社	853	1.58
イーザイ株式会社	833	1.54
早稲田1号投資事業有限責任組合	684	1.27
株式会社SBI証券	595	1.10
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG(FE-AC)	577	1.07
楽天証券株式会社	532	0.99

(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** (2017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
<http://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. **13** 第13期 2017年1月1日~2017年12月31日

SymBio VISION

わかちあう、創薬の喜び。

社長メッセージ

「第2の創業」に向けて
 中期経営計画始動

特集

トリアキシンの
 さらなる可能性



環境に優しい植物油インキを使用しています。



証券コード：4582

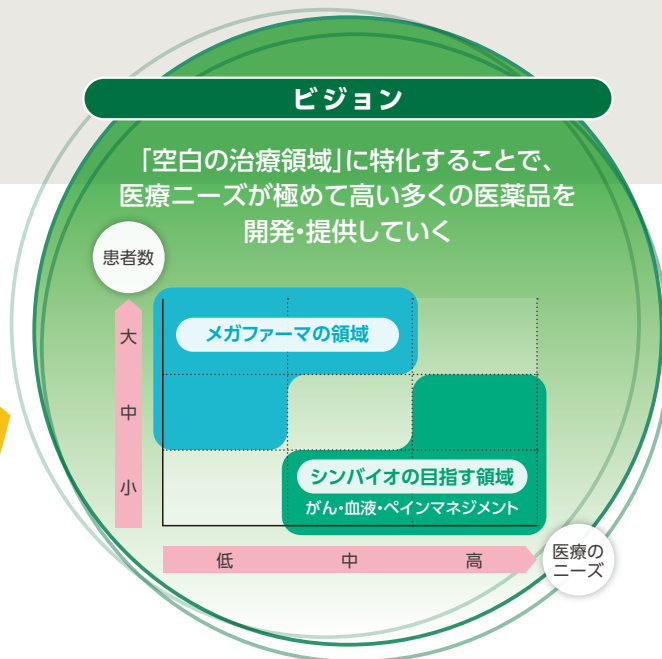
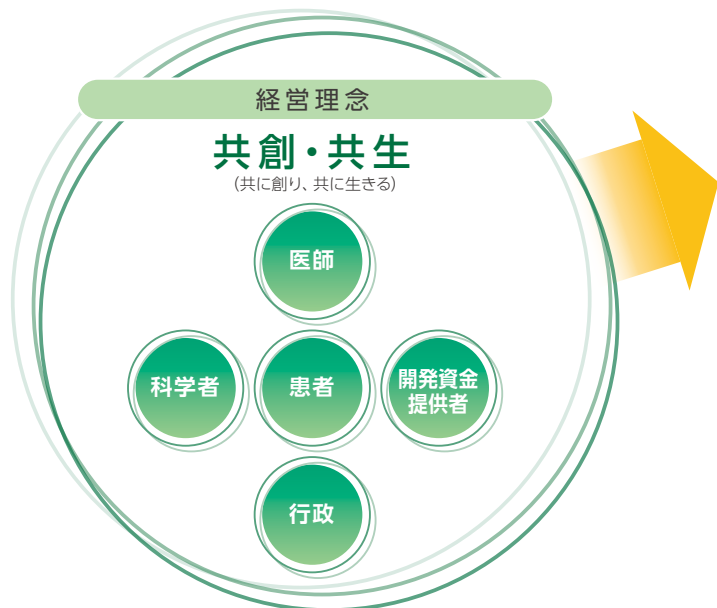


第2の創業 に向けて 中期経営計画始動

収益性と成長性を兼ね備えた
日本初のスペシャリティ・ファーマとなる

代表取締役社長兼 CEO

伊藤 文紀



1 バイオベンチャーの世界とシンバイオの成功への道

バイオ企業の成功率は
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%**

国内バイオベンチャー約300社のうち、
シンバイオは黒字化が可能な数少ない企業の一つ

当社固有の力

1

探索力
+
評価力
+
開発企画力

2

開発力
+
商業化力

3

POC*パイプライン
の構築力

*Proof of Concept:
概念の実証

新陳代謝の激しい業界で、「空白の治療領域」にビジネスチャンスを見出し、収益化させる稀有な存在

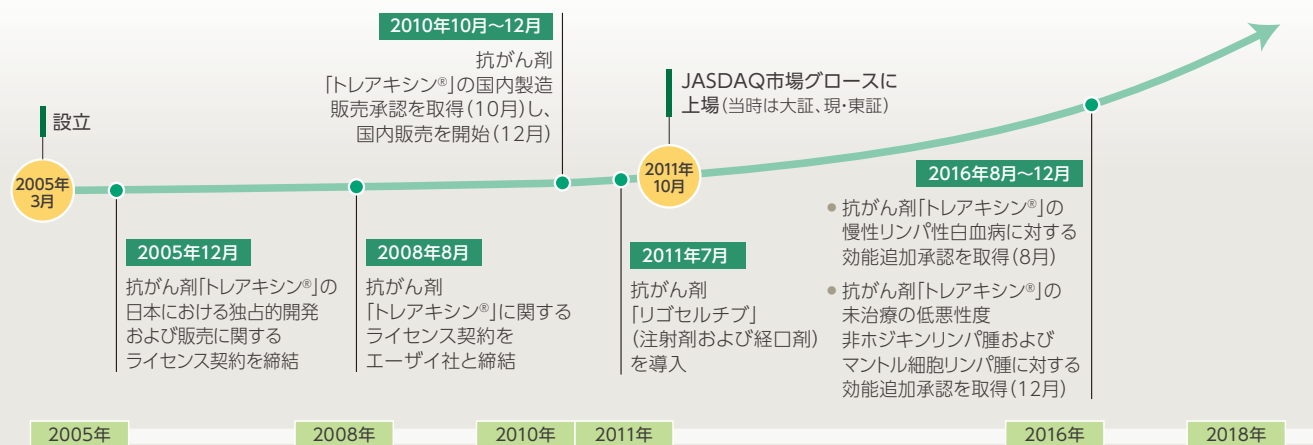
医薬品業界は、医薬品開発が長期化・大規模化するに伴い、大きなリスクに耐える国際競争力を維持できるメガファーマ志向へと構造的に大きく変化してきました。その結果、患者数が少なく採算が取れない領域については、研究開発が断念されるため「空白の治療領域」が必然的に生じることになります。一方で技術の発展に伴い、特定の患者さんに対してより効果の高い医薬品の提供が可能になってきました。研究開発投資において、従来の「量」から「効率」へのシフトが始まり、医薬品開発の変化に応じた規制改革が実行されていることから、これらの変化に対応できるバイオベンチャーの存在感は高まっています。

米国市場においても多くの創薬系バイオ企業が創業と消滅を繰り返し、成功する確率は極めて低いといわれています。上場を果たしている企業は約20%に過ぎず、そのうち売上と利

益を上げているのはわずか約2%という新陳代謝の激しいハイリスク・ハイリターンな業界ですが、そのトップ集団に最も近い存在が当社です。

当社は、医療ニーズとしては高いものの、開発難度が高く、大手製薬企業も事業効率や採算面から手がけることが難しいがん・血液・ペインマネジメントの「空白の治療領域」に特化した日本初の「スペシャリティ・ファーマ」です。有効性や安全性が確認されたパイプライン(新薬候補品)を欧米の製薬企業、バイオベンチャーなどから導入して、開発・販売を行う独自の医薬品開発モデルを展開し、開発期間の短縮や開発費用・リスクの低減を図ることで、強固なパイプライン・ポートフォリオの構築を実現しています。「空白の治療領域」に光をあてることでビジネスチャンスを探り、着実に収益化に結びつける、それがシンバイオなのです。

2 シンバイオのあゆみ



満たされない医療ニーズのための新薬開発に見出す、当社の存在価値

当社は、「共創・共生(共に創り、共に生きる)」という理念のもと、患者さんを中心として医師・科学者・行政・開発資金提供者の総和から生まれる推進力によって、未だ満たされていない医療ニーズに応える新薬開発への新しい道を拓いています。

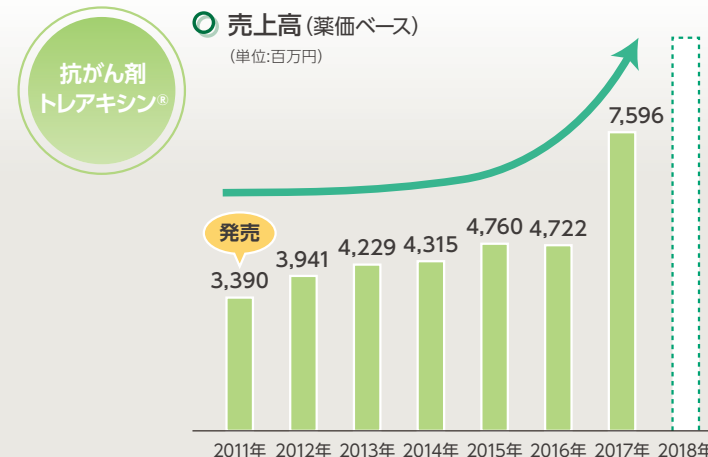
当社は、世界中の基礎医学と臨床医学の英知を結集した独自のネットワーク「新薬サーチエンジン」により、有望で医療ニーズと収益性の高い新薬候補品を選定。それを第一線で研究に携わる経験豊かな科学的諮問委員会(SAB:Scientific Advisory Board)が的確な判断を下し、付加価値の高い新薬候補品をパイプライン化し、速やかな承認へ向けた臨床開発を推進します。また資金を有効活用できるように、外部企業とのコラボレーションによるラボレス/ファブレス型事業モデルによりローコスト経営を実現しています。2005年の創業から

わずか5年で抗がん剤「トリアキシン®」の承認を取得し、製造販売できたのも、第一線の医師や研究者との共創によって選別・開発・製品化できる能力を有しているからにほかならず、そこに当社の存在価値を見出すことができます。

今後も、開発品の積極的な適応症拡大を進めるとともに、マーケットが相対的に小規模でも医療ニーズが高く、ヒトにおけるPOC(Proof of Concept:概念の実証)が確立されている製品化の確度の高い新薬候補品を継続的に導入し、開発を行うことにより、強固なパイプライン・ポートフォリオを構築してまいります。

またアジア諸国においても、日本と同様のがん・血液・ペインマネジメントといった領域が「空白の治療領域」になりつつあります。国内を注視しながらも中長期的な視点で海外展開を推し進めていきます。

3 シンバイオのポテンシャル



事業価値最大化に向けた今後の取り組み

- 承認済適応症の売上増大
- 新規の適応症の拡大
- 新剤形RTD・RI製剤による製品ライフサイクルの延長
- 自社販売体制の構築
- 自社製造体制の構築

売上の最大化

利益の最大化

製品ライフサイクル・マネジメント戦略により、トリアキシン®の事業価値の最大化を図る

トリアキシン®の主成分であるベンダムスチン塩酸塩は、ドイツにおいて非ホジキンリンパ腫、多発性骨髄腫および慢性リンパ性白血病の治療薬として長年使用されてきました。当社がアステラス製薬のドイツ子会社であるアステラスドイツラント社より、日本・中国・韓国・台湾およびシンガポールにおける独占的開発および販売に関する権利を取得し、2010年に製品化して以来、2万人以上の患者さんに提供しています。

当社は、トリアキシン®の製品ライフサイクル・マネジメント戦略を積極的に進めることで事業価値の最大化を図っています。従来の再発・難治性 低悪性度非ホジキンリンパ腫に加え、2016年には未治療(初回治療)低悪性度非ホジキンリンパ腫と慢性リンパ性白血病の適応症についても製造販売承認を受け、国内販売を開始しました。これらの適応症拡大を受けて、2017年の薬価

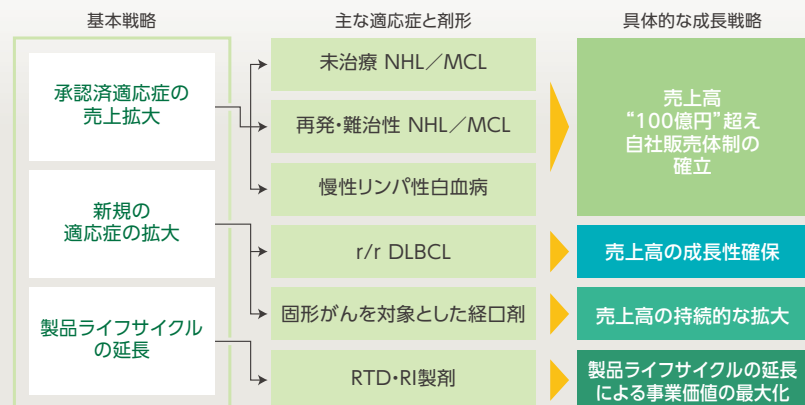
ベースの売上高は対前年比プラス60.9%と大きく伸長し2018年は薬価ベースの売上高は100億円を目標としております。

当社ではさらに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(以下、r/r DLBCL)について、2020年上半期の承認申請に向け臨床試験を開始。さらに製品ライフサイクルの大幅な延長を目的として、米国イーグル・ファーマシューティカルズ社とトリアキシン®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、トリアキシン®の安定した成長戦略の展開につなげています。

トリアキシン®に加え、もう一つの柱となる「リゴセルチブ」注射剤が国際共同第Ⅲ相試験を実施中、「リゴセルチブ」経口剤も第Ⅰ相試験で最初の患者登録が完了するなど、リスク/リターンを巧みに調和させたパイプラインの拡充も着実に進展しています。

4 シンバイオの成長戦略と成長イメージ

成長戦略 ▶ トレアキシン®を核とした成長戦略



中長期的な成長イメージ



2020年以降の発展期につなげるトレアキシン®の売上拡大と新たな販売体制の構築

当社は、創業7年目の2012年に創業期を脱し、2013～2019年の7年間にトランスフォーメーション期と位置づけ、事業構築に取り組んできました。成長へのS字カーブを描く2020年を起点とする発展期は、これまでとは質的にも量的にも大きく異なる事業展開が求められます。それはまさに「第2の創業」になると考えています。

2018年はトランスフォーメーション期から発展期へとつなげるための極めて重要な1年になると認識しています。そのためにもエーザイ社との協働体制を一層強化し、トレアキシン®未治療適応症において、臨床試験ですでに実証されている効果や安全性を一層周知します。さらに、競合する治療方法への対抗として、学会活動の協働や研究会の企画などの戦略的なマーケティング活動を通じた市場浸透を促進することで、

2018年には売上高(薬価ベース)100億円と未治療 NHLの第一選択薬として70%のシェア達成を目指します。

なお、2020年12月にはトレアキシン®の国内販売を委託しているエーザイ社との事業提携契約が満了となります。専門的な情報提供による製品価値の最大化を図り、医療の現場と患者さんに貢献するスペシャリティ・ファーマを実現するためにも、販売体制の構築は必須です。自社販売を行うか、これまでとは異なる事業形態での業務提携に基づく販売を行うかについては、2018年中に意思決定する考えです。

r/r DLBCL + RTD・RI製剤 + 新規パイプライン進展によりさらなる成長・拡大へ

2020年以降の成長と拡大を牽引するのは、r/r DLBCLや次世代製剤として位置づけているRTD・RI製剤です。

悪性リンパ腫の約3分の1を占めるr/r DLBCLの患者数は増加傾向にあると考えられていますが、未だ標準化学療法がないため、副作用が強く患者さんへの負担が大きい多剤併用療法が使われているのが現状です。そのためr/r DLBCLは新薬が切望されている医療ニーズが極めて高い治療領域であり、患者団体および関連学会からトレアキシン®(一般名:ベンダムスチン塩酸塩)とリツキシマブの併用療法(B-R療法)に対する強い開発要望が出されていました。当社はB-R療法の第Ⅱ相試験をすで実施し、優れた臨床試験結果を得ていますので、2020年上半期に承認申請を計画しているr/r DLBCLの適応追加により、2021年以降トレアキシン®の製品売上のさら

なる拡大を見込んでいます。

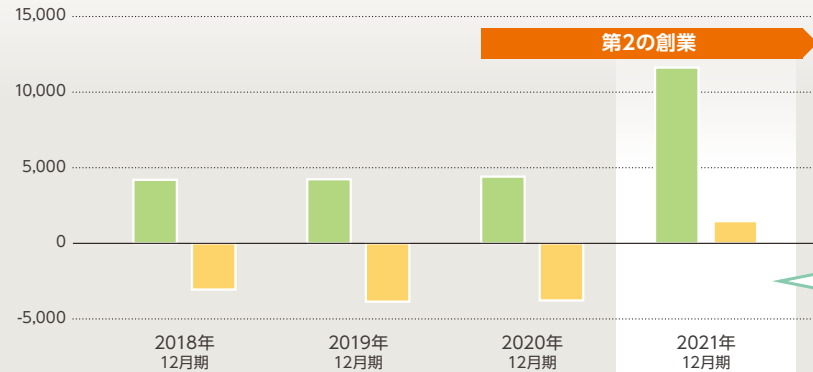
RTD・RI製剤は、従来のFD製剤(凍結乾燥注射剤)に比べ、医療従事者や患者さんの負担を大幅に軽減できるため、販売後の切り替えが加速することが見込まれています。さらに強固な特許により保護されているため、トレアキシン®の製品ライフサイクルを2031年まで延長することができます。これらに加え、進行性固形がんを対象としたトレアキシン®経口剤の開発が順調に進めば、トレアキシン®の持続的な事業価値の最大化が図られると確信しています。

さらにもう一つの柱と考えているリゴセルチブ注射剤および経口剤についても、まず注射剤により売上の拡大を図り、その後経口剤で事業価値を高めるという展開を見込んでいます。

5 「第2の創業」に向けて

○ 中期経営計画 (4カ年)

(単位:百万円) 売上高 当期純利益(損失)



最終年度目標 (2021年12月期)

(単位:百万円)

売上高	11,624~10,325
営業利益	1,777~878
経常利益	1,724~825
当期純利益	1,467~702

収益性と成長性を兼ね備えた日本初のスペシャリティ・ファーマを実現するために

「第2の創業」に向けた事業実行フェーズとして、当社は2018年2月に、2018年12月期を起点とする4カ年の中期経営計画を発表しました。最終年度となる2021年12月期の売上高100億円超えと収益化を最優先の経営目標として掲げています。

発展期の起点となる2020年までには、まだいくつもの経営課題を解決する必要がありますが、トレアキシン®未治療適応症の売上動向、r/r DLBCLやRTD・RI製剤の承認時期などの変動要因があっても売上高100億円以上、営業利益率10%の達成は可能だと考えています。順調に推移すれば営業利益率15%も現実味があると見ています。なお、新規ライセンス導入の可能性については、2021年12月期の黒字化達成への影響を考慮しながらグローバルの権利取得についても検討します。

国内に300社ほどあるバイオベンチャーの中で、新薬の承認を取得し製品売上を上げて利益を出せる企業への最短距離にいるのが当社です。そこには製薬企業をゼロから立ち上げてここまで250億円を超える事業資金を調達し、有望な新薬のシーズを確保し、承認取得により収益を上げるまでに事業を構築し続けている稀有の存在であるという自負があります。

事業価値のVIP (Value Inflection Point: 変曲点) を着実に捉え、2桁の営業利益率を可能にする、収益性と成長性を兼ね備えた日本初のスペシャリティ・ファーマとしての成長を実現してまいりますので、株主の皆さまには、引き続き当社事業にご理解・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

トレアキシン®の適応症拡大による売上伸長により大幅増収

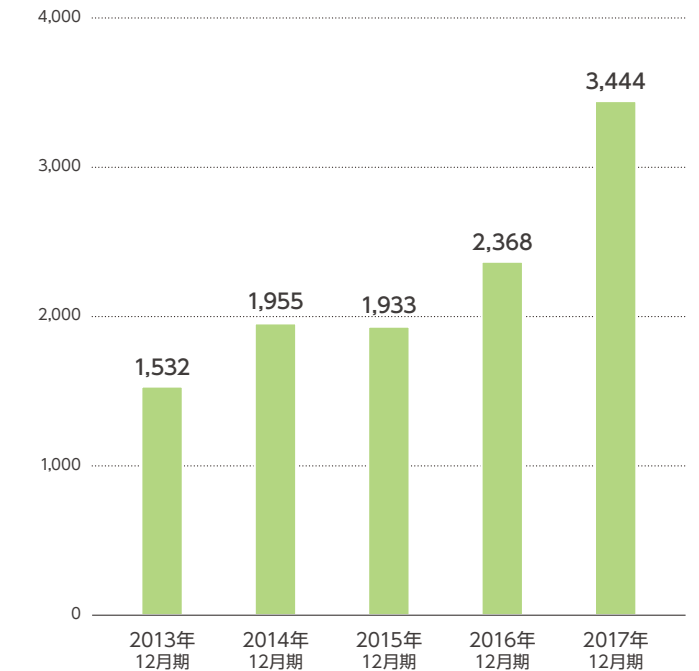
2017年12月期の売上高は、適応症拡大に伴うトレアキシン®の国内向け製品販売などにより製品売上が前期比61.1%増加したことから、全体で前期比45.4%増加となりました。

販売費及び一般管理費は、トレアキシン®、リゴセルチブの注射剤および経口剤、SyB P-1501の臨床試験に加え、長期的な企業価値向上のためのトレアキシン®液剤 (RTD・RI製剤)の導入に伴う研究開発費(前期比81.0%増)と、その他の販売費及び一般管理費(前期比43.7%増)の計上により、前期比64.2%増の4,978百万円となりました。

この結果、当期純損失は前期比1,664百万円増加し3,977百万円となりました。2017年12月末における現金及び現金同等物は、新株の発行により資金が増加したものの、当期純損失の計上などにより、前期比2,772百万円減少の2,947百万円となりました。

○ 売上高

(単位:百万円)



(単位:百万円)

	2013年12月期	2014年12月期	2015年12月期	2016年12月期	2017年12月期
売上高	1,532	1,955	1,933	2,368	3,444
研究開発費	1,052	774	2,034	1,667	3,017
当期純損失	△ 1,605	△ 1,115	△ 2,632	△ 2,313	△ 3,977

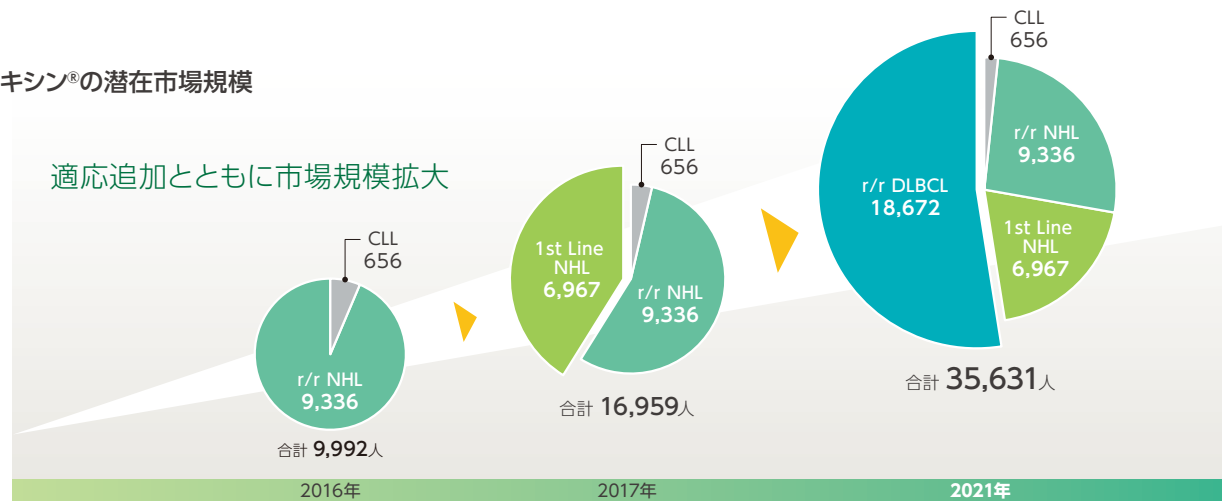
(注)記載金額は百万円未満を切り捨てております。

r/r DLBCLの適応追加によりトレアキシンの製品売上はさらに拡大

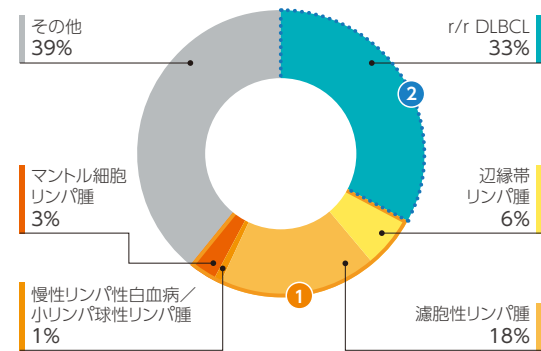
r/r DLBCLは、悪性リンパ腫の3分の一を占める発症頻度の高い病型です。高齢者を中心に増加傾向にあると指摘されていますが、現時点では患者さんへの負担が大きい多剤併用療法しかない状況にあります。当社のトレアキシ[®]（一般名：ベンダムスチン塩酸塩）とリツキシマブの併用療法（B-R療法）については、すでに実施された第II相試験において、奏効率62.7%、完全寛解率37.3%という優れた臨床試験結果を得ています。他に効果的な治療法がない中で、患者団体の切なる願いからも、対照比較試験なしの臨床試験が認められました。第II相試験結果を再現するという形で、2017年8月から登録予定患者数60症例、実施施設30施設にて第III相試験を開始。2018年はこのうち48症例を登録する予定です。

2020年上半期に承認申請、2021年の承認取得を目指しています。すでに承認を取得している3つの適応症に、r/r DLBCLを加えることで、対象患者数は35,000人を超え、トレアキシ[®]の総売上高はピーク時に200億円に迫ると予想しています。r/r DLBCLの承認取得は、当社の持続的な企業価値向上に大きく寄与すると期待しています。

トレアキシンの潜在市場規模



日本の悪性リンパ腫の分類の分布



1 トレアキシ[®]の従来市場 = 約30%

2 トレアキシ[®]の新たな市場 = 33%

参考: CancerMPact[®]、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[®]を中心にパイプラインの拡充が着実に進み、業績の成長を牽引

トレアキシ[®]の製品プラットフォーム化を進める中で、これまで承認を取得した3つの適応症については、売上高100億円超えを狙える製品となっています。トレアキシ[®]の中にパイプラインが存在する形で、r/r DLBCL、進行性固形がん対象の経口剤、RTD・RI製剤が続くことでさらなる成長・拡大カーブを描きます。RTD製剤については臨床試験が不要のため、申請

後は比較的容易に承認されるものと思われます。RI製剤については臨床試験が求められますが、2021年の承認取得を目指します。

リゴセルチブもまず注射剤で承認を取得し、経口剤へとつなげるにより売上高150億円以上を確保できる製品になるものと期待しています。

開発パイプラインの状況

(2018年2月15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 [®] 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		
トレアキシ [®] RTD製剤	再発・難治性 びまん性大細胞型B細胞リンパ腫 (r/r DLBCL)	2017年 8月 第III相試験開始 症例登録中				
	全適応症	承認申請準備中				
トレアキシ [®] RI製剤	全適応症	臨床試験準備中				
トレアキシ [®] (経口剤)	進行性固形がん	2018年 1月 第I相試験開始				
	全身性エリテマトーデス (SLE)	前臨床試験準備中				
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 未治療 高リスク MDS			2017年 6月 第I相試験開始 症例登録中		
					準備中	