



株式会社ジーエヌアイグループ

会社説明会資料

2018年3月29日

将来の予想・見通し等についての免責事項

- ◆本資料に記載されている当社の現在の計画、見通し、戦略などの内、歴史的事実ではないものは、将来の業績に関する見通しです。
- ◆将来の業績に関する見通しにつきましては、現時点で入手可能な情報から得られた当社経営者の判断に基づいています。実際の業績は、さまざまなリスクや不確実な要素により、これら業績見通しとは大きく異なる結果となりうるため、これら業績見通しに依拠して投資判断を決定することはお控えいただきますよう、お願いいたします。
- ◆実際の業績に影響を与えうる重要な要素には、当社の事業領域を取り巻く経済情勢、市場の動向、世界情勢などが含まれます。
- ◆本資料と平成29年12月期 決算短信〔IFRS〕（連結）（短信）の内容に相違があった場合、決算短信の内容が優先されます。

目次

1

2017年度を振り返って

2

臨床開発の状況

3

米国Cullgen Inc. について

4

中長期戦略

2017年度を振り返って

- ① **アイスーリュイの中国新保険目録収載**
- ② **Berkeley Advanced Biomaterials LLC (BAB) の買収**
- ③ **米国FDAよりF351第1相臨床試験開始の承認を取得**

中国におけるアイスーリュイの保険適用プロセス

中国医療保険制度の下でアイスーリュイが患者の方々に行き渡るためには、以下の4つのステップが必要：

1. 国家新保険目録への収載

➔ 2017年2月収載済み



2. 各省の医薬品目録への収載

➔ 2017年中にほぼ全ての省において収載済み



3. 省ごとに行われる入札購買

➔ 約2 / 3の省で2017年中に入札が行われ、落札済み



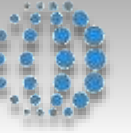
4. 各病院内薬局における採用

➔ 当社による営業活動を通じ中国国内に1,600ある3級病院(日本の大学病院に相当)に対しアイスーリュイ採用をアピール中

◆ ピルフェニドン 地域別保険実施状況

左記ステップ1~3完了	未完了ステップあり
北京	遼寧
上海	江西
広東	重慶
河南	山西
山東	甘肅
福建	新疆
四川	海南
安徽	青海
湖北	寧夏
江蘇	内モンゴ
天津	吉林
広西	浙江
黒竜江	河北
雲南	貴州
湖南	陝西

BAB買収の意図



- 医療機器業界は比較的長い製品寿命を持ち、利益性が安定している。
- ジーエヌアイグループがグローバルライフサイエンス企業となるために強力かつ安定した基盤を築くことができる。
- 上海ジェノミクスは2008年頃からBABと取引があり、同社のビジネス、技術及び経営陣に詳しくあった。
- 世界最大の医療市場である米国で事業拡大の足掛かりを得られた。F351の第1相臨床試験が第一歩となる。
- ライセンス供与や事業提携を通じて、日本においてBABの製品を販売できる可能性がある。
- 「単一製品・単一市場」リスクを軽減できる。



肝線維症治療薬としての F351の米国における治験許可

対象疾患：慢性肝炎に伴う肝線維症

2016年3月
米国食品医薬品局(FDA)に
治験許可申請を提出

2016年5月～2017年8月
FDAから要請された毒性試験
の実施、提出

2017年10月
FDAより第1相臨床試験
開始の承認を取得

現状

- ✓ 肝臓において線維化する細胞の大部分は肝星細胞であるが、ヒドロニドンは、多様な動物試験において、肝星細胞がTGF- β に誘発されてコラーゲンを合成することを阻害することが示されている
- ✓ この生化学反応は、**米国及び世界的に承認された治療法がない肝線維症について、医学上の重要な課題**とされる人体における肝線維症の進行と状態の維持に重要な関係があることが示されている。
- ✓ 全世界のNASH及びNAFLD市場は、**350億米ドル**(ドイツ銀行調査)と推測されている。



目次

1

2017年度を振り返って

2

臨床開発の状況

3

米国Cullgen Inc. について

4

中長期戦略

アイスーリュイの適応症拡大

	結合組織疾患を伴う間質性肺疾患 (CTD-ILD)	放射線性肺炎 (RP)	糖尿病腎症 (DN)
現状	<ul style="list-style-type: none"> 2016年9月 中国国家食品薬品監督管理総局(CFDA)より第3相臨床試験IND承認 遺伝資源管理監督官庁の再調査が2018年3月21日に終了 	<ul style="list-style-type: none"> 2015年7月 第3相臨床試験に先行するパイロット試験開始 被験者登録11名 	<ul style="list-style-type: none"> 2016年8月 CFDAより第2相臨床試験IND承認 試験開始に向け準備中
今後の見通し	2019年末までに被験者登録終了の見込み	<ul style="list-style-type: none"> 2019年末までに被験者登録終了の見込み 潜在患者掘り起こしのため、進捗が遅くなっている 	<ul style="list-style-type: none"> 腎臓専門医と首席臨床試験医師との間で調整が必要 治験実施予定施設の改築終了後、2018年第2～第3四半期に試験開始の見込み

F351

	肝繊維症 (中国)	肝繊維症 (米国)
現状	<ul style="list-style-type: none">• 2015年6月 第2相臨床試験開始• 被験者登録154名	<ul style="list-style-type: none">• 2017年9月 第1相臨床試験IND承認• 試験開始に向け準備中
今後の見通し	<ul style="list-style-type: none">• 被験者登録の進捗が想定していたよりも遅れている• 2018年第2四半期に独立データモニタリング委員会による中間解析が行われ、中間解析結果を以て第3相に進むかどうか判断される見込み	<ul style="list-style-type: none">• 2018年第2四半期に試験開始の見込み• 試験費用は2億円程度の見込み

その他

	F573 (急性肝不全・慢性肝不全急性化)	タミバロテン (急性前骨髄球性白血病)
現状	<ul style="list-style-type: none">2011年7月 CFDAに対し第1相臨床試験IND申請	<ul style="list-style-type: none">2015年10月 CFDAに対し輸入薬として登録申請
今後の見通し	<ul style="list-style-type: none">CFDAによる審査は全て終了2018年第2四半期にCFDAの決定が出る見込み	<ul style="list-style-type: none">CFDAによるGCP査察実施済み2018年第3四半期にCFDAの決定が出る見込み

目次

1

2017年度を振り返って

2

臨床開発の状況

3

米国Cullgen Inc. について

4

中長期戦略

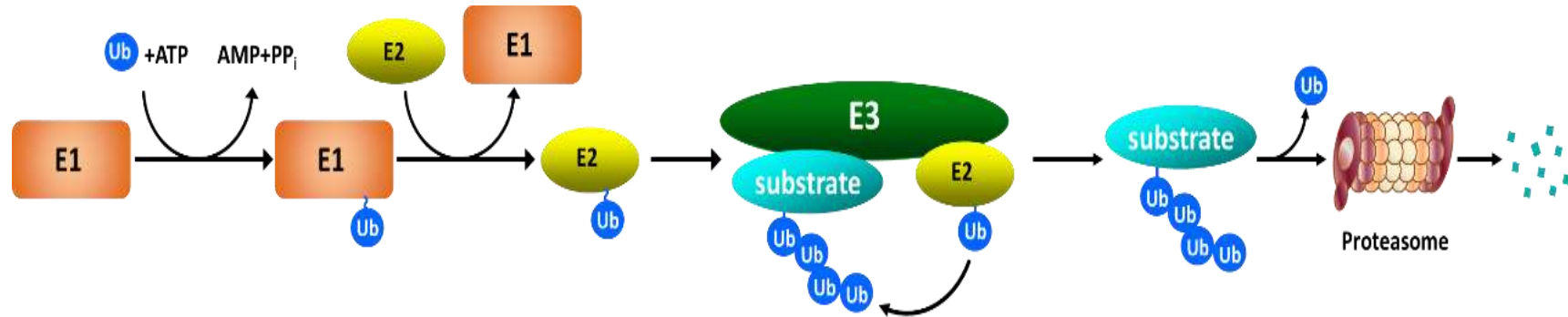
画期的な創薬技術

- 技術革新はめったに起こらない。私たちはいま科学の大躍進に立ち会っていると考えている。
- 当社の技術は疾患の原因とされるたんぱく質の選択的分解に焦点を当てており、これまで創薬のターゲットとして困難とされてきたたんぱく質も含まれている。また、この新しい創薬基盤技術は早期に、安価で、効率的に新規化合物を臨床開発に繋げていけるという強みを持っている。
- 当初の創薬開発プログラムはがんに焦点を当て、その後、炎症性疾患や自己免疫疾患等にも拡大していく予定。
- GNIは確固たる創薬パイプラインを持っているが、これまで世界をリードする創薬基盤を持っていなかった。この技術は複数の薬を数多くの領域において創り出す基盤技術である。

The logo for Cullgen, featuring the word "Cullgen" in a blue, sans-serif font. The letter "i" in "Cullgen" has a vertical line through it, and the letter "n" has a vertical line through it. The logo is positioned in the bottom right corner of the slide.

Cullgen社への投資の意図

(ユビキチン・プロテオソーム系概略図)



- Cullgenの技術は創薬技術における画期的なものである。従来の酵素阻害に代わり、たんぱく質の選択的な分解はさらに効き目の高い薬を創り出すことが可能となる。
- 新規創薬候補化合物の探索コストが従来のハイスループット・スクリーニングに比較してかなり安い。
- 従来創薬ターゲットにできなかったものをターゲットとして狙えるようになる。多くの疾患についてターゲットの対象が大きく広がる。
- ジーエヌアイグループが最先端の技術基盤を持つことにより、現在よりも多くの創薬候補化合物を創り出すことができるようになる。
- 当面对象とする抗がん剤領域はジーエヌアイグループにとって繊維症以外の新しい領域となる。
- 共同創業者と科学諮問委員会のメンバーはみなユビキチン研究分野における中心人物たちである。

2～3年以内に豊富な抗がん剤パイプラインを持つことが目標

目次

1

2017年度を振り返って

2

臨床開発の状況

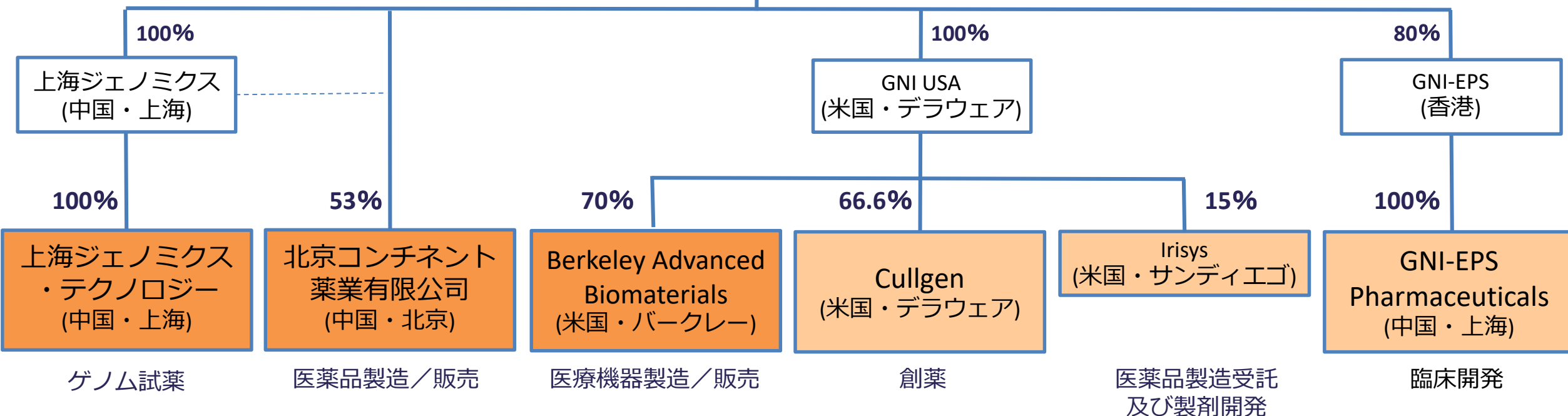
3

米国Cullgen, Inc. について

4

中長期戦略

最新鋭の研究開発と収益部門を擁する柔軟なグループ組織



長期的な成長と財務健全性とのバランスを慎重に保つ

長期的な視点で一歩ずつ当社のビジネスモデルを追求



当社の長期的戦略及びゴール

- 時価総額数千億円規模のグローバルヘルスケアカンパニーを目指す
- 製品リスク及び経済リスクを最小化する豊富かつ多様性のあるパイプラインを確保する
- 強固な財務成績と株主還元を目指す
- 新しい治療法や製品を開発しより多くの患者様に届ける

株式会社ジーエヌアイグループ IR担当

TEL: 03-6214-3600 (代)

E-Mail: infojapan@gnipharma.com