

# シンバイオ製薬株式会社

## 事業計画及び 成長可能性に関する事項

2021年12月22日

# 目次

---

|             |       |    |
|-------------|-------|----|
| 第1部：ビジネスモデル | ..... | 4  |
| 第2部：市場環境等   | ..... | 11 |
| 第3部：競争力の源泉  | ..... | 19 |
| 第4部：事業計画    | ..... | 25 |
| 第5部：リスク情報   | ..... | 35 |

# 第1部：ビジネスモデル

---

第2部：市場環境等

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

# 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   | 平成17年3月25日                                                          |                                |                          |                    |
| 資本金  | 17,044,943,808円（2020年12月末現在）                                        |                                |                          |                    |
| 取締役  | 吉田 文紀<br>松本 茂外志                                                     | 代表取締役<br>取締役（社外）               | ブルース・デビッド・チェソン<br>海老沼 英次 | 取締役（社外）<br>取締役（社外） |
| 監査役  | 渡部 潔<br>遠藤 今朝夫                                                      | 常勤監査役（社外）<br>監査役（社外）           | 賜 保宏                     | 監査役（社外）            |
| 執行役員 | 吉田 文紀<br>福島 隆章<br>吉田 耕造                                             | 社長執行役員兼CEO<br>執行役員兼CFO<br>執行役員 | 網干 正幸<br>鳥飼 芳春           | 執行役員<br>執行役員       |
| 子会社  | Symbio Pharma USA, Inc. （シンバイオ ファーマ ユーエスエー インク）<br>米国ノースカロライナ州 ダーハム |                                |                          |                    |

# 沿革 ①



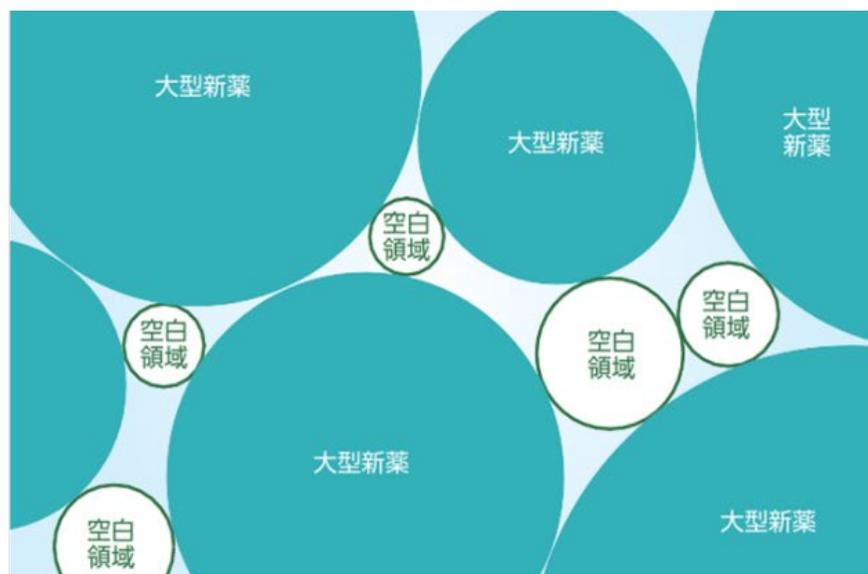
|           |                                                                                    |
|-----------|------------------------------------------------------------------------------------|
| 2005年3月   | シンバイオ製薬株式会社を東京都港区西新橋に設立                                                            |
| 2005年 7月  | 本社を東京都港区新橋へ移転                                                                      |
| 2005年12月  | アステラス ファーマ社（ドイツ）より抗がん剤「Bendamustine Hydrochloride」の日本における独占的開発および販売に関するライセンス契約を締結  |
| 2006年 3月  | 東京都より医薬品製造業（包装、表示、保管）の許可取得（許可番号：13AZ200010号）                                       |
| 2007年 3月  | アステラス ドイツラント社（ドイツ）より抗がん剤「SyB L-0501」の中国、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ライセンス契約を締結 |
| 2008年 8月  | 抗がん剤「SyB L-0501」に関するライセンス契約をエーザイ株式会社と締結                                            |
| 2009年 3月  | 中国における抗がん剤「SyB L-0501」の開発、および商業化権を供与するサブライセンス契約をセファロン社（米国）と締結                      |
| 2009年 5月  | 韓国とシンガポールを対象とした抗がん剤「SyB L-0501」に関するライセンス契約をエーザイ株式会社と締結                             |
| 2010年10月  | 抗悪性腫瘍剤「トレアキシ <sup>®</sup> 」の国内製造販売承認取得<br>～再発・難治性 低悪性度非ホジキンリンパ腫／マントル細胞リンパ腫         |
| 2010年12月  | 抗悪性腫瘍剤「トレアキシ <sup>®</sup> 」の国内販売開始                                                 |
| 2011年7月   | オンコバ社（米国）と抗がん剤「SyB L-1101/SyB C-1101」に関するライセンス契約を締結                                |
| 2011年10月  | 大阪証券取引所JASDAQ市場グロースに上場                                                             |
| 2014年 11月 | 本社を東京都港区虎ノ門へ移転                                                                     |
| 2016年 5月  | SymBio Pharma USA, Inc.（シンバイオ ファーマ ユーエスエー インク）を米国カリフォルニア州メンローパークに設立                |

## 沿革 ②

|          |                                                                                                                   |
|----------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 2016年8月  | 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の慢性リンパ性白血病に対する効能追加の国内製造販売承認を取得                                                                     |
| 2016年12月 | 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の治療の低悪性度非ホジキンリンパ腫及びマントル細胞リンパ腫に対する効能追加の国内製造販売承認を取得                                                  |
| 2017年9月  | Eagle Pharmaceuticals社（米国）とベンダムスチン液剤（RTD製剤及びRI投与）の日本における開発・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結                                   |
| 2018年7月  | 造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版に抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」が標準的治療の選択肢として新たに収載                                                             |
| 2019年9月  | Chimerix社（米国）と抗ウイルス薬「brincidofovir」（プリンシドフォビル）（天然痘除く）の開発・販売・製造に関する独占的グローバルライセンス契約を締結                              |
| 2020年9月  | 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の液剤「RTD製剤」の製造販売に係わる承認を取得                                                                           |
| 2020年12月 | 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」について自社による国内販売を開始                                                                                   |
| 2021年 1月 | 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」の液剤「RTD製剤」発売                                                                                       |
| 2021年3月  | 再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトリアキシン®とリツキシマブ併用療法に関する承認取得、並びにトリアキシン®、リツキシマブとポラツズマブベドチンとの併用療法に関する承認取得                 |
| 2021年4月  | 再発又は難治性びまん性大細胞型B細胞リンパ腫を対象としたトリアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ併用療法に関する承認取得、並びにトリアキシン®液剤「RTD製剤」とリツキシマブ、ポラツズマブベドチン併用療法に関する承認取得 |
| 2021年8月  | 抗ウイルス薬「brincidofovir」（プリンシドフォビル）注射剤第Ⅱ相臨床試験における1例目(FPI)の投与を開始                                                      |

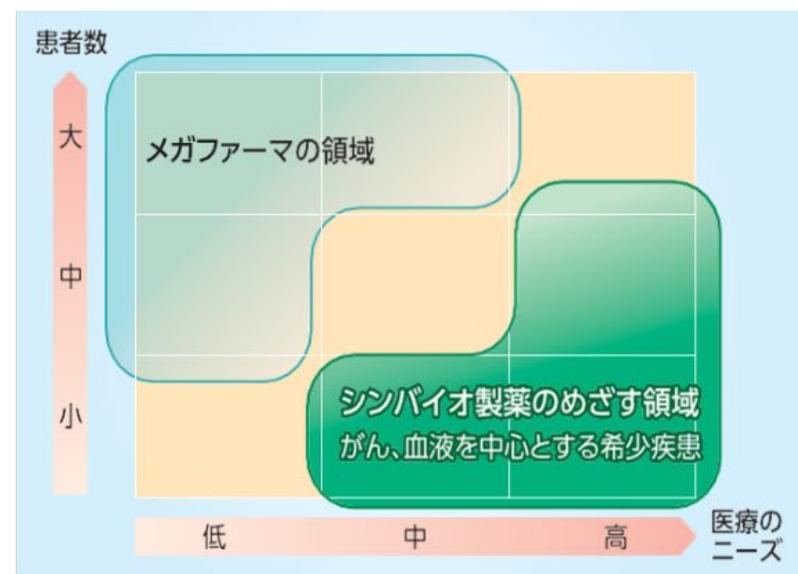
# 事業ドメイン

シンバイオ製薬は、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。



## 「空白の治療領域」に挑む

シンバイオ製薬は、患者数が少なく治療が難しいために開発が見送られている「空白の治療領域」を見据え、これを埋めるための新薬開発を推進しています。この独自のポジションから、医療への貢献を図っていきます。

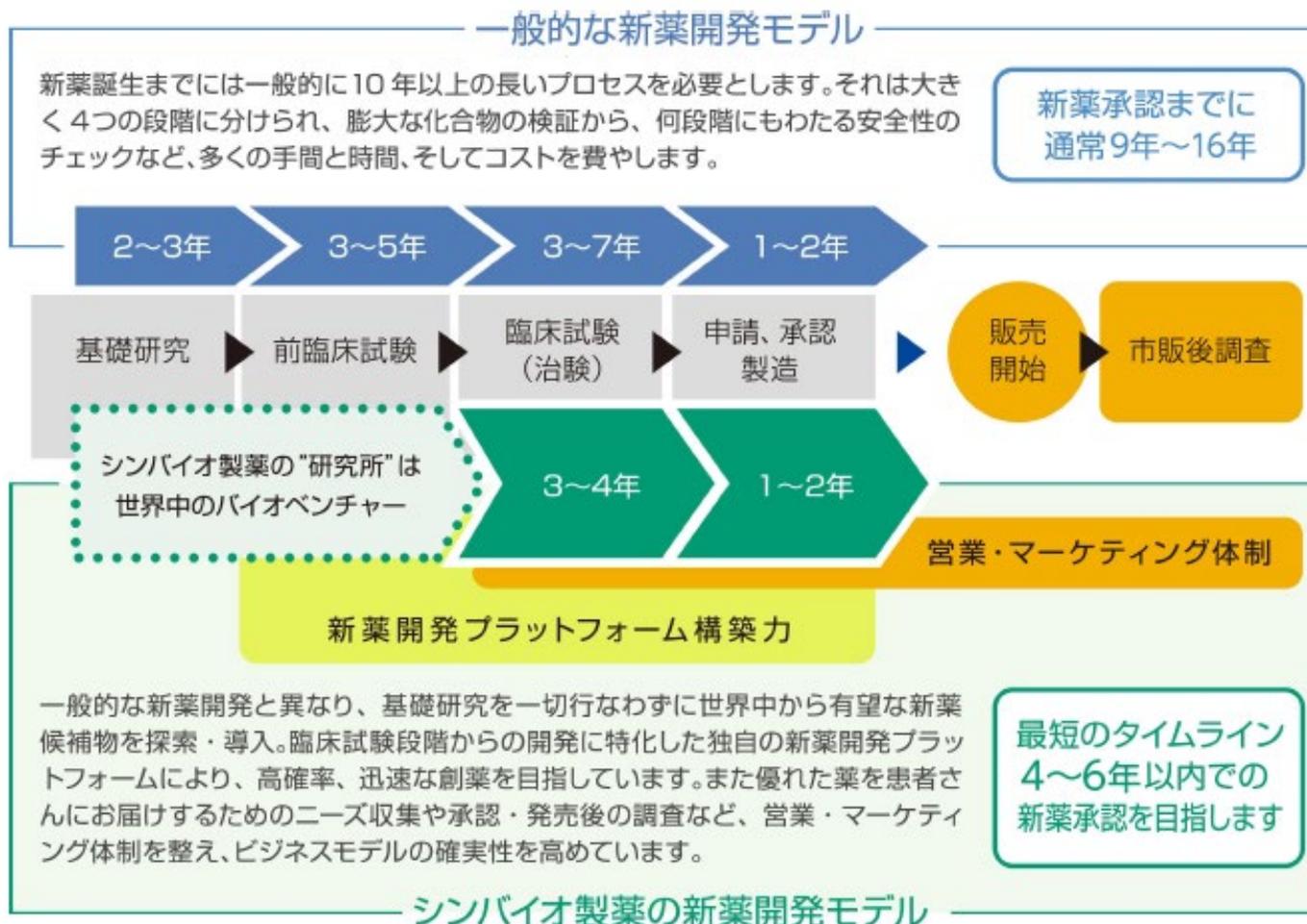


## 医療ニーズから出発する新薬開発

大手医薬品メーカーが採算面で手を出しにくい、未だ医療ニーズが満たされていない「ニッチな市場」。そのなかでも、特に難度の高い「がん、血液を中心とする希少疾病」の領域を中心に取り組んでいます。

# ビジネスモデル

シンバイオ製薬では、医療価値の高い新薬を1日も早く開発し、提供していくために、他の医薬品メーカーとは異なる独自のビジネスモデルを構築しています。



# 製品パイプライン

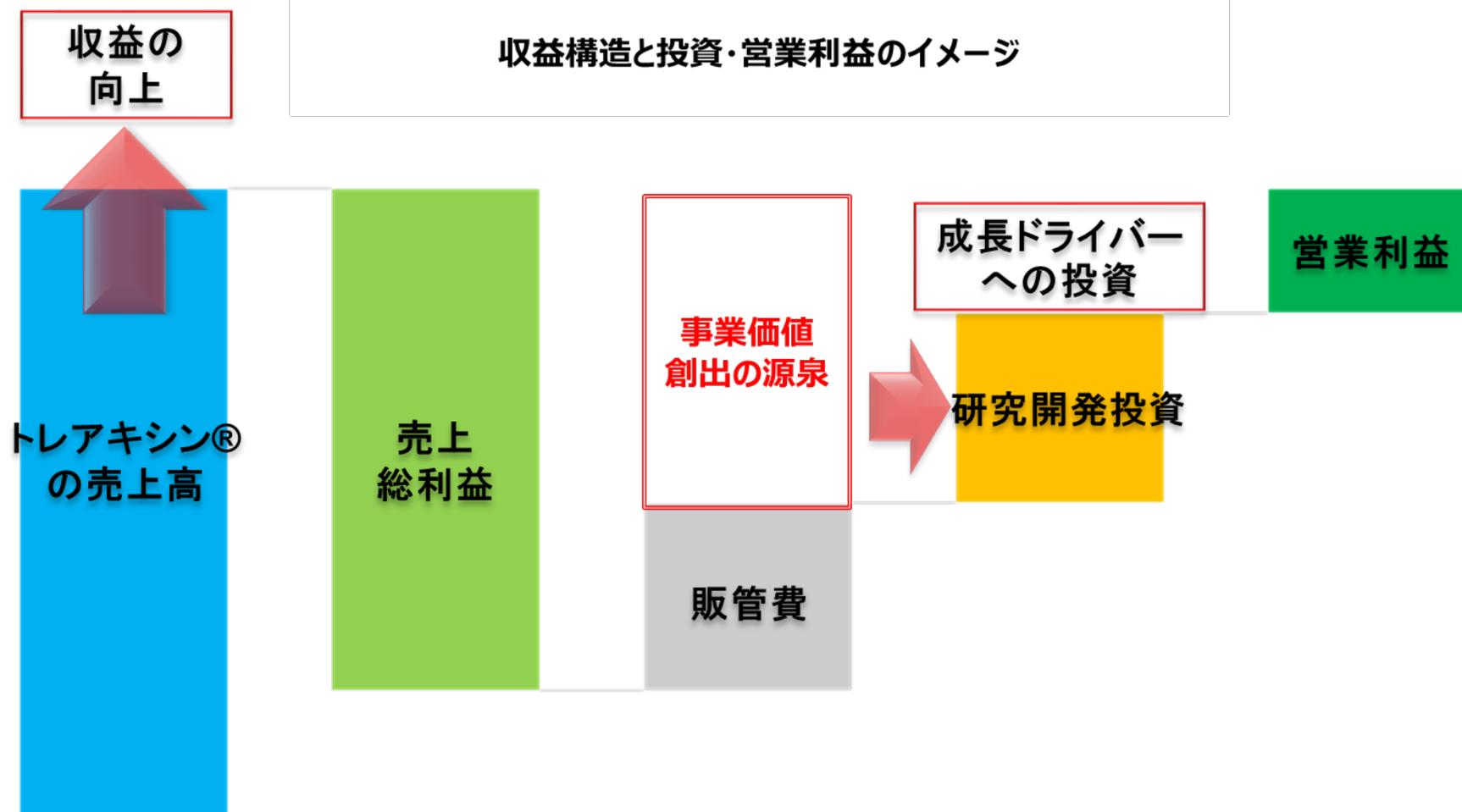


当社は、高い専門性が求められ難度が高いために参入障壁の高いがん及び血液領域を中心としたスペシャリティ・ファーマとして、以下のパイプラインを保有しております。

| 開発品目               | 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®<br>「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                                       | 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DLBCL                                     | 2021年3月 承認済         |          |           |    |    |
| トレアキシン®<br>「RTD製剤」 | 全適応症(再発・難治性DLBCL除く)                             | 2020年9月 承認済         |          |           |    |    |
|                    | 再発・難治性DLBCL                                     | 2021年4月 承認済         |          |           |    |    |
| トレアキシン®<br>「RI投与」  | 全適応症                                            | 承認申請完了              |          |           |    |    |
| プリンシドフォビル<br>注射剤   | 造血幹細胞移植後を含む免疫不全患者の<br>アデノウイルス感染症(小児・成人)(Global) | 国際共同第2相臨床試験実施中      |          |           |    |    |
| プリンシドフォビル<br>経口剤   | 製剤改良の開発(Global)                                 | 製剤改良検討中             |          |           |    |    |
| リゴセルチブ<br>注射剤      | 再発・難治性 高リスクMDS 単剤                               | 国際共同第III相試験 追加解析実施中 |          |           |    |    |
| リゴセルチブ<br>経口剤      | 再発・難治性 高リスクMDS                                  | 国内試験完了              |          |           |    |    |
|                    | 未治療 高リスクMDS AZA併用                               | 国際共同第 I / II 相試験 完了 |          |           |    |    |

# 事業の収益構造

当社は、2020年12月の自社販売体制移行等に伴い、トレアキシ<sup>®</sup>の持つ極めて高い収益力＝売上総利益が、営業・管理費用の支出後、更なる事業価値創出に向けたパイプラインの研究開発投資を支えています。



---

第1部：ビジネスモデル

**第2部：市場環境等**

---

第3部：競争力の源泉

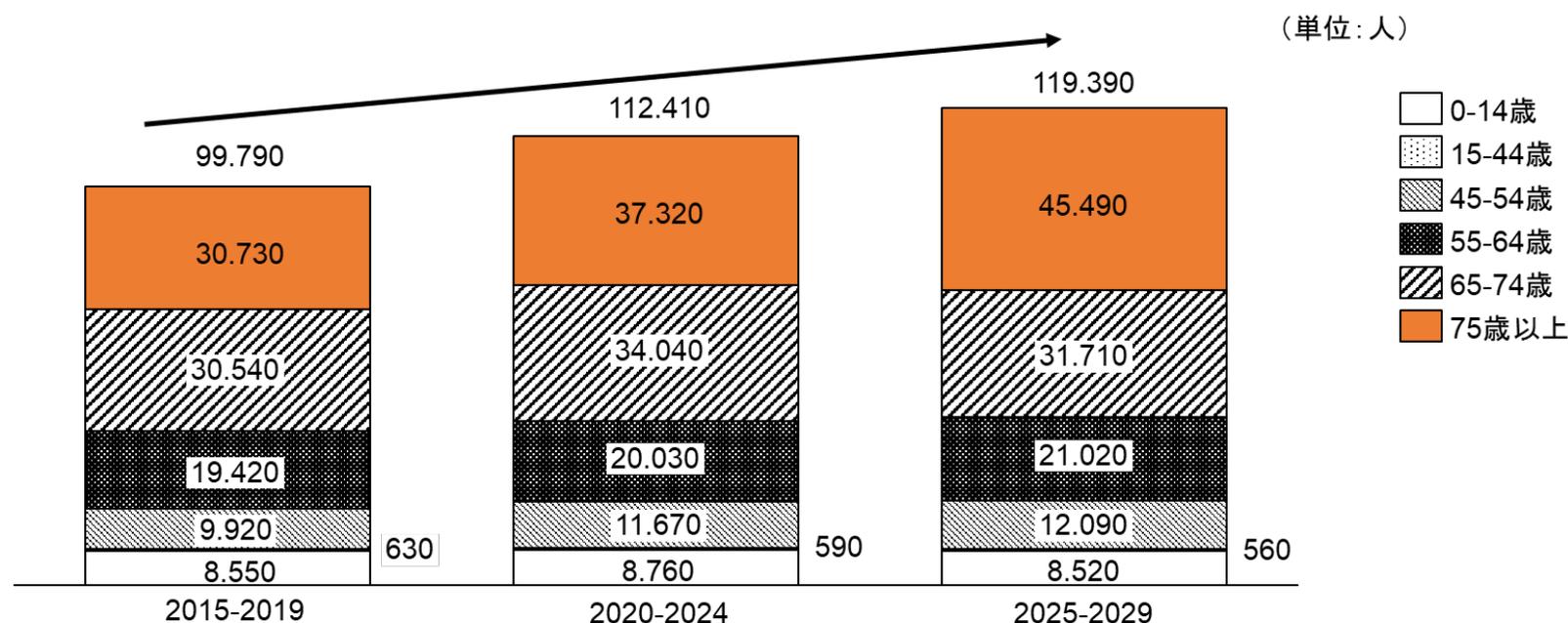
第4部：事業計画

第5部：リスク情報

# 市場規模：トリアキシン®①

## 「トリアキシン®」（一般名：ベンダムスチン塩酸塩、ベンダムスチン塩酸塩水和物）

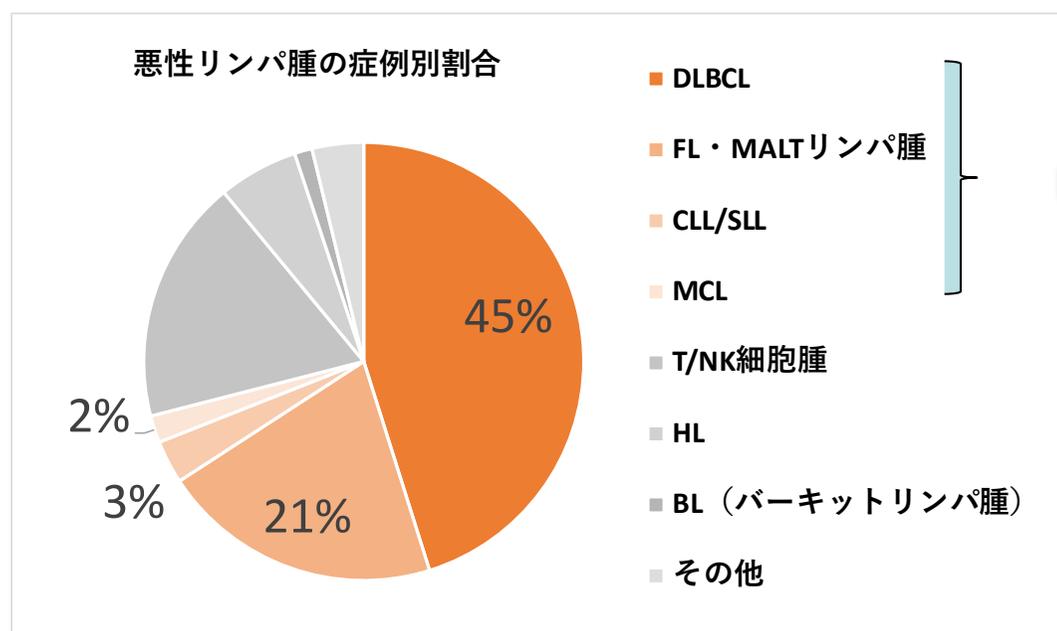
- 悪性リンパ腫は、高齢化社会を反映し、その罹患数は年々増加し、日常臨床で遭遇する一般的な疾患となりつつあります。
- 抗悪性腫瘍剤「トリアキシン®」は悪性リンパ腫において、複数の適応を有しています。
- 悪性リンパ腫とは、白血球の一種であるリンパ球ががん化（腫瘍化）し、リンパ節や臓器に塊（腫瘤）ができる病気で、全身に分布するリンパ節やリンパ以外の臓器（胃、腸、甲状腺、脊髄、肺、肝臓、皮膚、眼など）からも発生します。悪性リンパ腫は主にホジキンリンパ腫（HL）と非ホジキンリンパ腫（NHL）に分かれており、日本では約90%がNHLで占められます。また、症状の進行速度によって、低悪性度、中悪性度、高悪性度に分類されます。



# 市場規模：トレアキシン®②

「トレアキシン®」は大きく4つの適応を取得しています。

- 再発又は難治性の低悪性度B細胞性非ホジキンリンパ腫（低悪性度NHL）及びマンテル細胞リンパ腫（MCL）【2010年10月に製造販売承認を取得】
- 未治療（初回治療）の低悪性NHL及びMCL【2016年12月に製造販売承認を取得】
- 慢性リンパ性白血病（CLL）【2016年8月に製造販売承認取得】
- 再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）【2021年3月に製造販売承認取得】



トレアキシン®の適応症

出所：Chihara D, et al. Br J Haematol 164:536-545,2014を基に当社加工

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3907701/pdf/bjh0164-0536.pdf>

## 「brincidofovir」(布林シドフォビル)

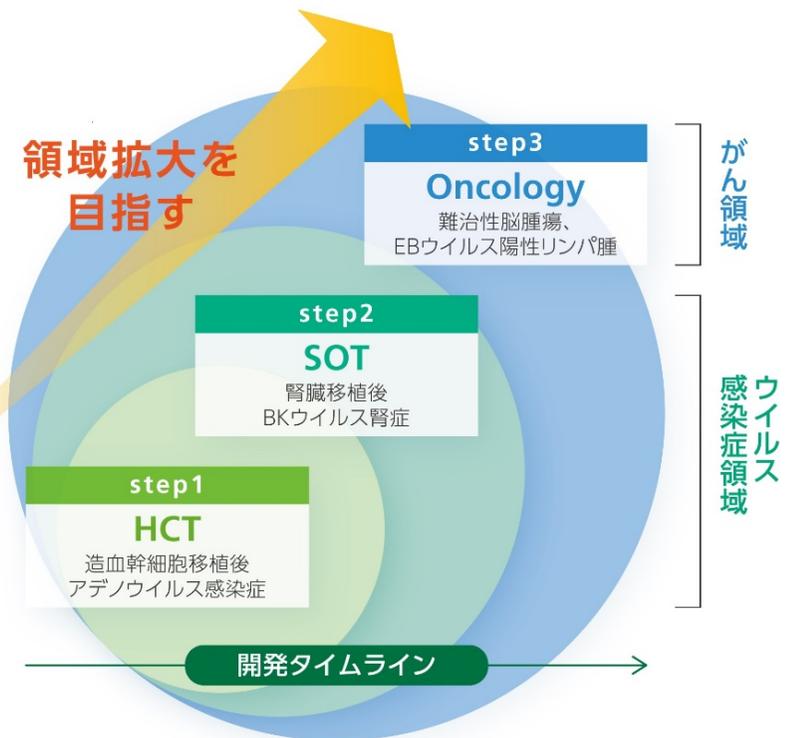
- 当社は2019年9月30日にChimerix Inc.社（本社：米国ノースカロライナ州、以下「キメリックス社」）との間で抗ウイルス薬布林シドフォビルの注射剤及び経口剤（以下、各々「BCV IV」及び「BCV Oral」）に関しての独占的グローバルライセンス契約を締結し、天然痘疾患を除くすべての疾患を対象としたBCVの世界全域における開発・販売に加えて製造を含む独占的権利をキメリックス社から取得しました。当該契約において、同社はキメリックス社に対して、契約一時金5百万ドルを支払い、更に将来的なマイルストーン及び製品売上に応じたロイヤリティーを支払うこととなっています。布林シドフォビルについては、従来のパイプラインと比較して、世界全域を対象としていること、開発・販売に加え、製造権も獲得していることが異なります。
- 当社の企業使命である「空白の治療領域」に存在し、かつ、アンメット・メディカル・ニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス（AdV）感染症を対象に、日本・アメリカ・ヨーロッパを中心としたBCV IVのグローバル開発を優先的に進めることを決定、2021年3月に、主に小児対象（成人も含む）のアデノウイルス（AdV）感染症を対象とする第Ⅱ相臨床試験を開始するため、米国食品医薬品局（FDA）にInvestigational New Drug（IND） Application（治験許可申請）を行いました。本開発プログラムについては、2021年4月に、米国食品医薬品局からファスト・トラック（Fast track）指定を受けています。

## 市場環境等：ブリンシドフォビル②

- ブリンシドフォビルは、シドフォビル（cidofovir：欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、国内では未承認）に特定の長さの脂肪鎖（ヘキサデシルオキシプロピル：HDP）を結合させた抗ウイルス薬です。脂質結合体として新しい作用機序を持ち、シドフォビルと比べて細胞内への取り込み効率が向上し（細胞膜透過性を高め）ています。ブリンシドフォビルは細胞内で直接作用する分子に変換され、ウイルスの複製を阻害し、高い抗ウイルス効果を発揮するなどの画期性を有します。加えて、シドフォビルの副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない高活性の抗マルチウイルス薬です。広範囲のDNAウイルス感染症（サイトメガロウイルス（CMV）等のヘルペスウイルス、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス、天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得ると言われています。

# 市場環境等：プリンシドフォビル③

- アデノウイルス感染症（AdV）を対象とする試験により得られた有効性と安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後の各種dsDNAウイルス感染症に対する効果を検討し、抗マルチウイルス活性を有する特性を生かして、Adv以外のウイルスへ対象領域を拡大とBCVの事業価値の最大化を目指します。
- 具体的には、腎臓移植を含む臓器移植（SOT）後のウイルス感染症（BKウイルス感染症）、ウイルスにより誘因されたがん（EBウイルス感染症等）を開発対象としています。
- 本剤は、既にキメリックス社による欧米における臨床試験においてBCV経口剤が高活性の抗ウイルス効果を示しているほか非臨床試験においても広域のスペクトラムを有することが確認されています。各種dsDNAウイルスに対する幅広い抗ウイルス活性は、BCV注射剤においても造血幹細胞移植後の各種ウイルス感染症の予防及び治療に対する有効性と安全性が期待されます。



## 「トリアキシン®」

- 低悪性度NHLにおいては「トリアキシン®」と抗CD20抗体の併用療法（BR療法およびBG療法）は、日本血液学会が発行する造血器腫瘍診療ガイドラインにて、標準的治療の選択肢として推奨されることになり、名実ともに標準治療として位置づけられています。競合は、従来の化学療法となります。再発又は難治性の低悪性度NHLにおいては、新しい作用機序の治療法であるリツキシマブおよびレナリドミド併用療法との使い分けが進んでいます。しかしながら、個々の患者の特徴状態と薬剤特性から治療が選択されることになり、BR療法が標準治療の一つであることは変わらないと見込んでいます。
- 再発または難治性のDLBCLにおいては、これまで長く従来の化学療法以外に新しい治療法は開発されてこなかったため、BR療法及び、ポラツズマブ ベドチン（遺伝子組換え）とトリアキシン®、抗CD20抗体リツキシマブの併用療法（PBR療法）に対する期待は高く、治療選択肢としての浸透は早いと見込んでいます。
- 現時点で、競合となる薬剤はCAR-T療法や新規作用機序の薬剤となりますが、CAR-Tにおいては、使用可能な施設が限定されている事、新規作用機序の薬剤においては、今後の成績を参考に検証する事になりますが、個々の患者の状態と薬剤特性から治療が選択されることになると推察しています。

---

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

---

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

# 競争力の源泉①

1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

2) 既存パイプラインの価値最大化

3) 自社販売体制

4) シンバイオフーマUSAからグローバル展開へ

## 競争力の源泉②

### 1) 高度な探索及び評価能力による優れたパイプラインの構築

当社の新薬サーチエンジンは、製薬企業及びバイオベンチャーとの多様なネットワークによって構築され、膨大な化合物から有望な新薬候補物が抽出されます。これらに対して第一線で研究に携わる経験豊かな**サイエンティフィック・アドバイザー・ボード (SAB)** が的確な判断を下し、付加価値の高い新薬候補品を獲得、速やかな承認へ向けた臨床開発を推進します。



## SABメンバー

|                                                                                    |                         |                                                           |                                                                                       |                                     |                                                                    |
|------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------|-----------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------|--------------------------------------------------------------------|
|    | ジョージ・モー<br>スティン<br>(議長) | 前アムジェン上級副社長グロ<br>バルデベロップメント 兼 CMO                         |    | ロバート・ルイ<br>ス                        | 前アベンティス上級副社長 兼<br>ブリッジウオーター研究所最高<br>責任者                            |
|    | 堀田 知光                   | 国立がん研究センター 名誉<br>総長<br>国立病院機構 名古屋医療<br>センター 名誉院長          |    | 小川 一誠                               | 愛知県がんセンター 名誉総<br>長                                                 |
|   | 中畑 龍俊                   | 京都大学名誉教授<br>京都大学iPS細胞研究所顧<br>問<br>京都大学iPS細胞研究所研<br>究員     |   | 須田 年生                               | 国立大学法人熊本大学国<br>際先端医学研究機構 卓越<br>教授<br>シンガポール国立大学がん研<br>究所 教授        |
|  | 竹内 勤                    | 慶應義塾 常任理事<br>慶應義塾大学医学部リウマ<br>チ・膠原病内科 教授                   |  | 平家 俊男                               | 兵庫県立尼崎総合医療セン<br>ター・院長                                              |
|  | 高橋 康一                   | テキサス大学MDアンダーソン<br>がんセンター白血病科、ゲノム<br>医療科アシスタント・プロフェッ<br>サー |  | マティアス・J・<br>ルンメル<br>(シニアアド<br>バイザー) | Justus-Liebig-University<br>(ユストゥス・リービッヒ大学)<br>血液学および内科腫瘍学外<br>来医長 |

# 競争力の源泉④

## 2) 既存パイプラインの価値最大化

トリアキシン®は既承認の適応症に加え、再発・難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）について、2021年3月に承認取得しました。また、イーグル社より導入したトリアキシン® RTD製剤は2021年1月より販売を開始、RI投与は2021年5月に承認申請を行っております。

トリアキシン®液剤（RTD製剤/RI投与）は **知的所有権により2031年まで保護**される

- 1. 既承認適応症の売上増大
- 2. 新剤型（RTD製剤）・RI投与による製品寿命の延長
- 3. 新規適応症（r/rDLBCL）による売上拡大

売上の最大化

x

- 4. 自社販売体制の構築
- 5. 自社製造体制の構築

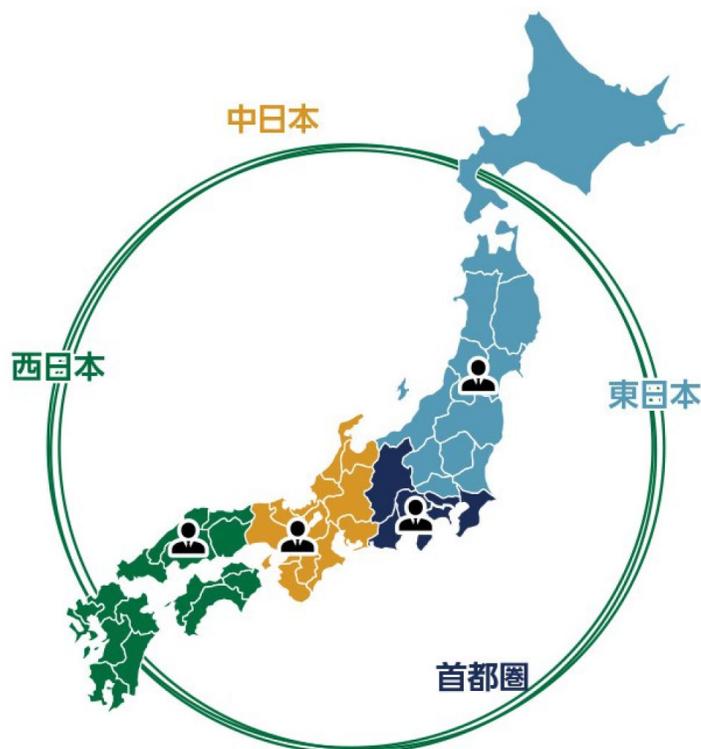
利益の最大化

# 競争力の源泉⑤

## 3) 自社販売体制

当社では、自社による販売体制を構築し、2020年12月にトリアキシン®の自社販売体制へ移行しました。当社にとって、2021年度の収益化とその後の収益持続的拡大は最重要課題であり、自社販売体制への移行により今後の事業展開は盤石なものとなりました。

- 地域密着型の営業体制を構築、全国4つの地域に分け展開
- 学術的支援のため血液領域専門エキスパート（HE）を各地域に配置



全国流通物流体制を完備



+



+

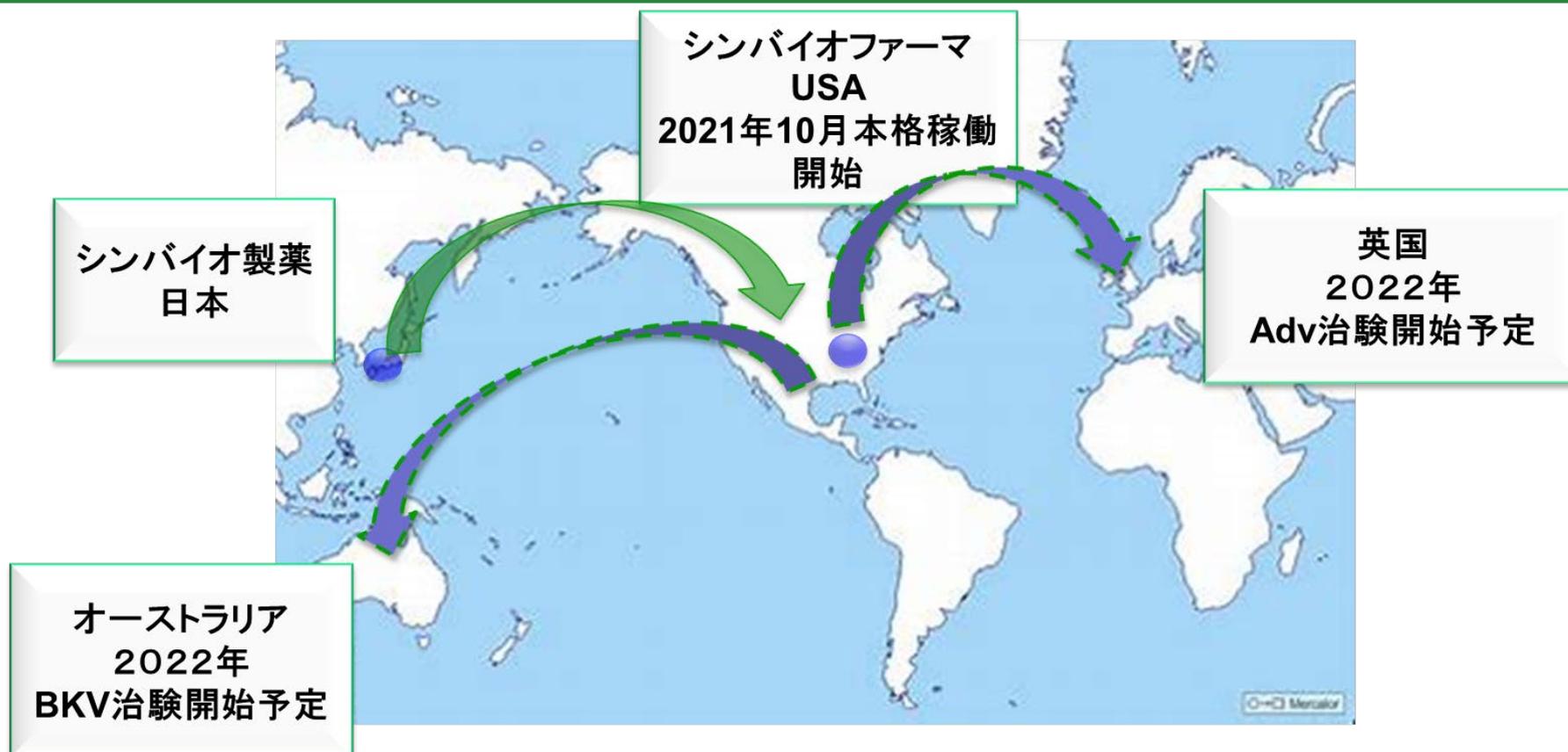
S.D.COLLABO

# 競争力の源泉⑥

## 4) シンバイオファーマUSAからグローバル展開へ

抗ウイルス薬プリンシドフォビルは、アンメット・メディカルニーズの高い造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を最初の候補適応症として、日本／アメリカ／ヨーロッパを中心としたグローバル開発を行います。

2021年10月にシンバイオファーマUSAが本格稼働を開始し、プリンシドフォビルのグローバル開発と商業化を推進し、その事業価値の最大化を図ってまいります。



---

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

**第4部：事業計画**

---

第5部：リスク情報

## 第二の創業の経営 持続的な事業価値創造の戦略

事業価値の創造 = EPS X パイプラインの事業価値

### 2021~2025

既上市済製品及び近未来  
パイプラインの価値最大化

#### トレアキシ<sup>®</sup>

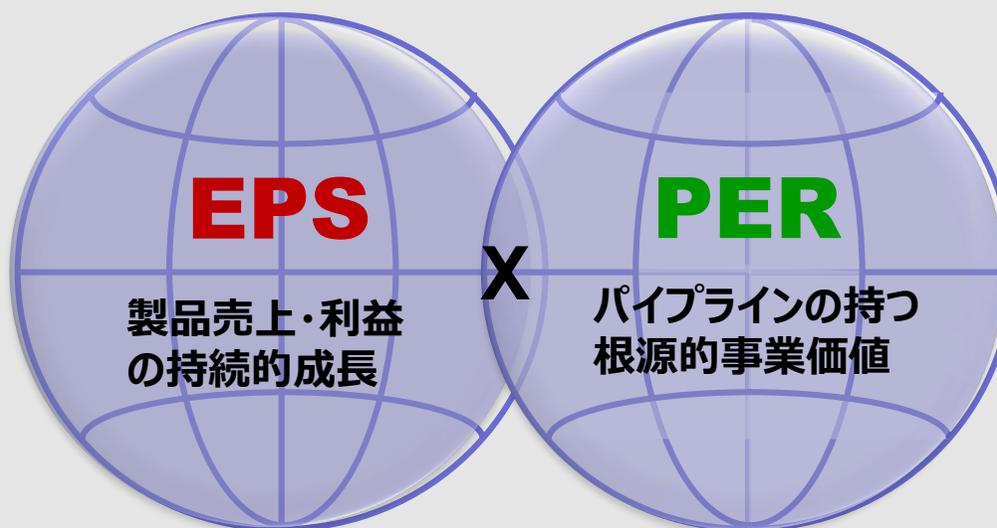
- 適応拡大
- RTD への切替え
- RI への切替え
- 新規化合物との併用

#### リゴセルチブ

- トレアキシ<sup>®</sup>・他剤と併用
- 新規疾患ターゲット

#### BCV

- コア治療領域・地域以外での事業提携



### 2021~

- トレアキシ<sup>®</sup>  
新作用機序の解明と  
対象疾患の探索
- 新規パイプライン導入
- BCVグローバル事業展開
- BCVグローバル事業開発
- アカデミアと応用研究推進
- AI創薬による新発想

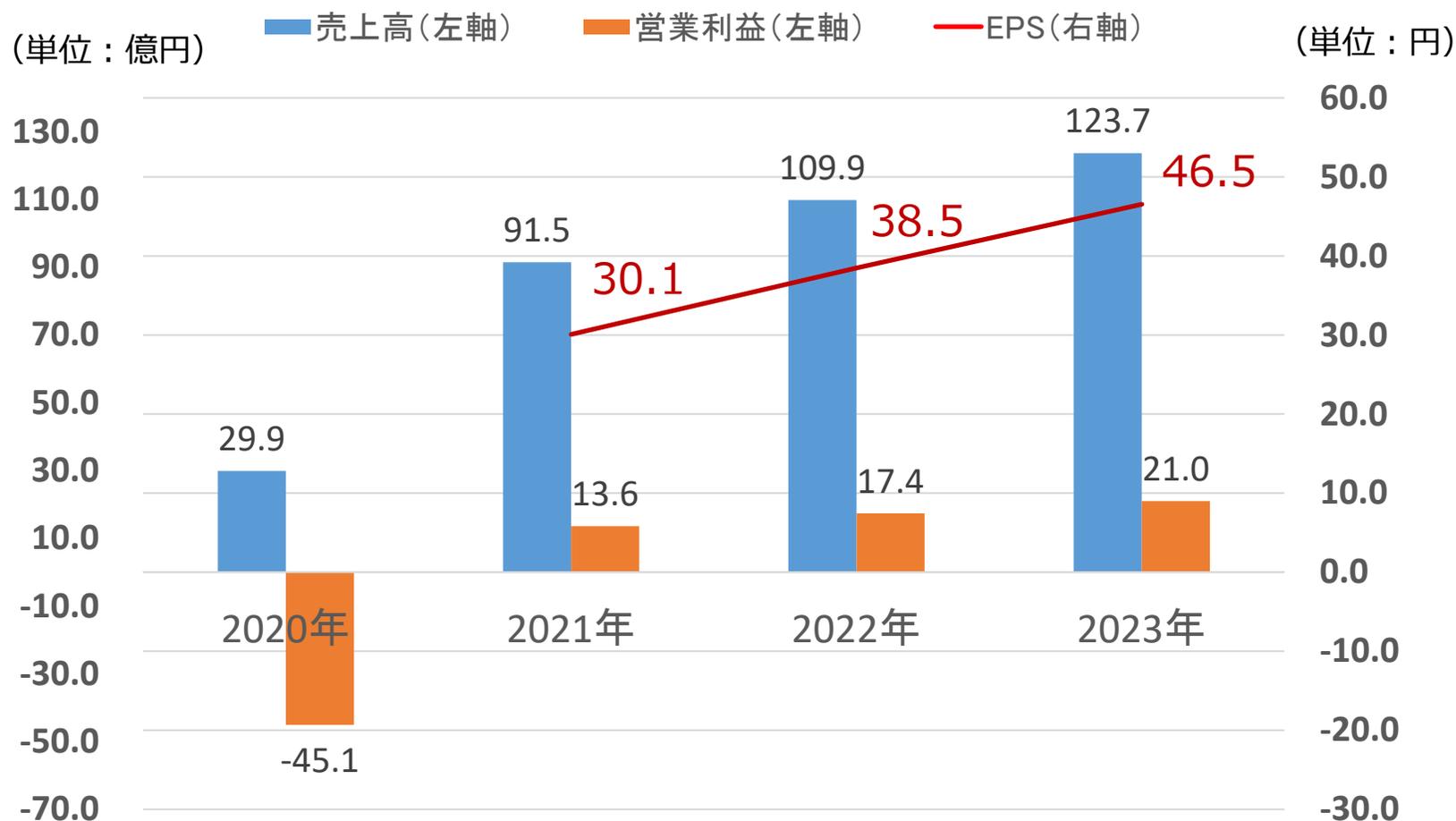
製品が生み出す収益を循環し、更なる事業価値最大化へ結びつける

# 経営目標と利益計画



中期経営計画（2021年～2023年）

- 研究開発型事業から **収益モデルへの転換**
- 営業利益及びEPSともに、20+%のYOYの伸長を予想



# 業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠



- 売上高については、トリアキシン®の製品売上がその大半を占めております。製品売上の目標数値については、直近で見られる市場への浸透のペース及び売上高の傾向を反映させ、本計画期間の売上成長率を見直した結果を計上しております。
- 2020年までの当社売上高は販売委託先であるエーザイへの製品出荷売上をベースとして計上していましたが、2021年以降の自社販売体制においては当社から医薬品卸業者への製品出荷売上をベースとした金額を計上しております。
- 2021年以降の売上高の算定においては、2021年第2四半期に承認取得を計画している再発又は難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）の適応追加によるトリアキシン®の製品売上の更なる拡大を想定した上で目標数値を開示しております。
- 販売費及び一般管理費については、主に研究開発費、その他販売費及び一般管理費に区分されます。
- 研究開発費については、トリアキシン®及びリゴセルチブ、そして抗ウイルス薬プリンシドフォビルからなる既存パイプラインの研究開発計画の想定に基づいて費用を計上しております。
- 既存パイプライン以外の、抗ウイルス薬プリンシドフォビルに続く、新規開発候補品については、継続して評価・検討を進めるものの導入に関する一時金等の費用は計上しておりません。
- その他販売費及び一般管理費については、主としてトリアキシン®の営業・マーケティング業務、生産物流業務、事業開発業務、管理業務関連費用で構成されております。2021年からのトリアキシン®の自社販売体制の運営に係わる費用を計上しており、主に医薬情報担当者の増員に伴う人件費および活動コストの増加を見込んでおります。

# 業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

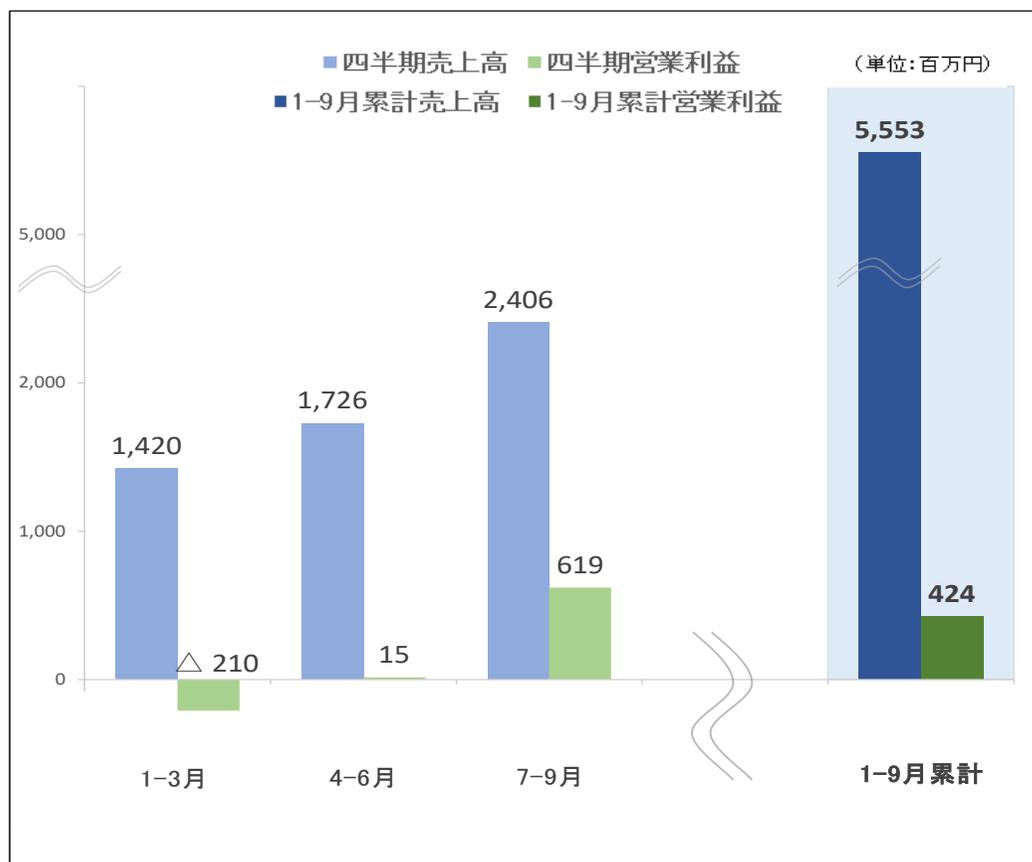


- 当期純利益については、2020年2月6日発表の中期経営計画において、2021年度以降の収益化を見越して繰越欠損金等の解消が進むことの影響額を2021年度と2022年度の法人税等調整額に反映しておりましたが、2020年度決算における会計監査人の見解も踏まえ、当社としては、今次中期経営計画において2021年度以降の法人税等調整額の要素を除外して計画を策定しました。
- 人員計画については、2020年に62名から成る全国営業組織の構築を完了しました。それ以外の組織においては必要とされる人員配置を計画し、そのための人件費を計上しております。また、抗ウイルス薬プリンシドフォビルのグローバル展開に伴う増員を計画し、人件費に反映しております。
- 資金計画については、将来の事業展開に応じた資金需要に対して柔軟かつ機動的に対応できるよう、資金調達手法の多様化の検討を行い、また予算管理の徹底を推進し、財務基盤の更なる強化に努めてまいります。

# 進捗状況① 2021年12月期第3四半期

## 第3四半期累計期間で営業黒字達成

- r/r DLBCLの売上の増加が本格化したことが寄与し、第3四半期の売上高は第2四半期比680百万円増収の2,406百万円となり、営業利益は同比603百万円増益の619百万円を計上
- 当四半期累計期間では、売上高が5,553百万円、営業利益は424百万円を計上



(単位: 百万円)

|         | 1-3月  | 4-6月  | 7-9月  | 累計    |
|---------|-------|-------|-------|-------|
| 売上高     | 1,420 | 1,726 | 2,406 | 5,553 |
| 売上原価    | 410   | 461   | 635   | 1,507 |
| 売上総利益   | 1,009 | 1,264 | 1,771 | 4,045 |
| 同率      | 71.1% | 73.3% | 73.6% | 72.9% |
| 販売管理費   | 1,220 | 1,249 | 1,151 | 3,621 |
| うち研究開発費 | 473   | 439   | 373   | 1,286 |
| 営業利益    | △ 210 | 15    | 619   | 424   |
| 税引後純利益  | △ 209 | 4     | 530   | 324   |

# 進捗状況② 2021年12月期第3四半期



## 2021年12月期の主要マイルストーン

事業の黒字化 & グローバル化という2つのトランスフォーメーション を同時に推進

- 8月16日（米国時間）にBCVのP2のFPI達成
- 10月11日（米国時間）にシンバイオファーマUSAの副社長、プロジェクトマネジメント及びクリニカルオペレーションズの責任者としてキャロリン・ヤナビッチ博士を選任

### 2020

- ✓ 液剤RTD承認取得
- ✓ 自社営業組織 稼働開始
- ✓ 全国流通物流体制の構築
- ✓ DLBCL適応の承認申請完了
- ✓ BCVグローバル開発のCRO決定
- ✓ 42億円の資金調達  
+ 30億円の銀行融資枠確保

### 2021 1H

- ✓ 液剤RTDの発売とFDの切替え促進
- ✓ BCVのP2のINDをFDAに申請
- ✓ DLBCL適応 (BR+P-BR)承認・発売
- ✓ 液剤RIの承認申請
- ✓ リゴセルチブ再解析+応用研究開始
- ✓ 月次PLの黒字化

### 2021 2H

- ✓ BCVのP2のFPI達成
- ✓ Symbio Pharma USAの稼働開始
- BCVの国内POC試験の開始
- リゴセルチブ開発計画策定
- ✓ DLBCL適応の早期浸透
- 年間PLの黒字化

# 進捗状況③ アカデミアとの協業

2021年12月期第3四半期：ベンダムスチンとリゴセルチブの進捗状況

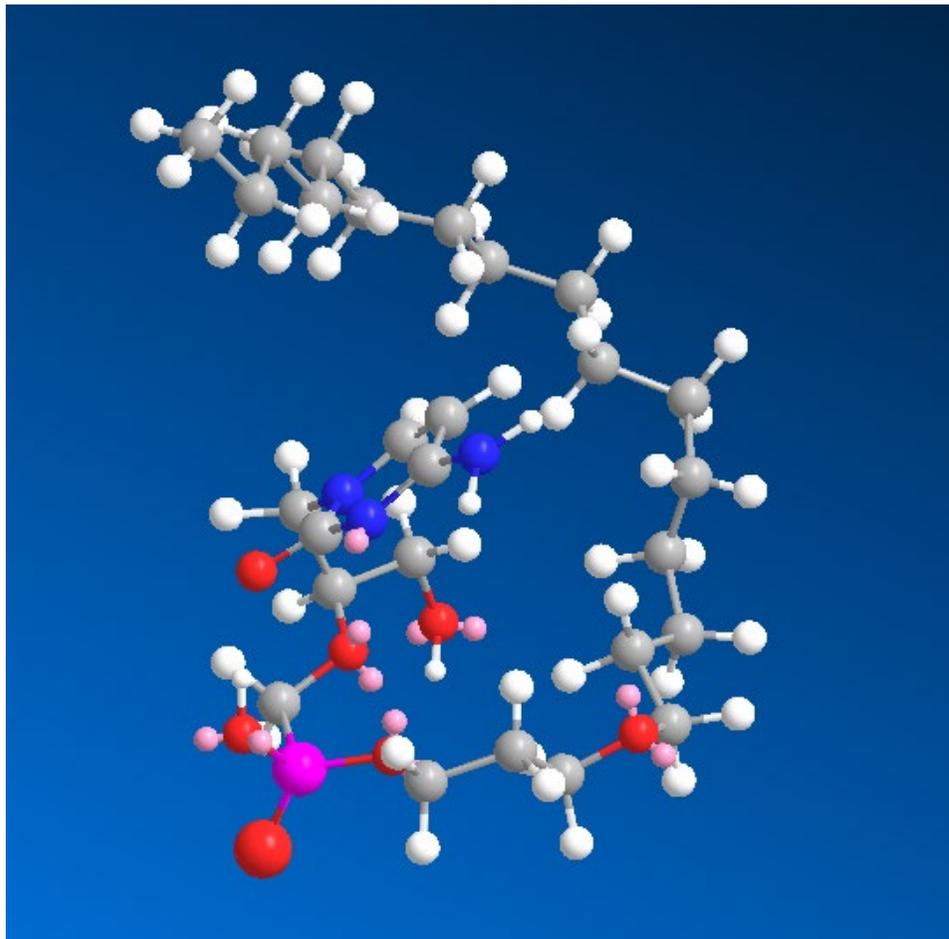
➤ アカデミアとの応用研究の拡大により、薬剤の事業価値創造を目指す

|                                                                                                                                              | 研究対象薬剤                                                                                                                       | 共同研究施設                        | 研究概略                            |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------|---------------------------------|
| <b>ベンダムスチン</b><br><br><ul style="list-style-type: none"> <li>● アルキル化剤</li> <li>● プリン誘導体</li> <li>● STAT3阻害作用</li> <li>● LUBAC阻害作用</li> </ul> | ベンダムスチン                                                                                                                      | シンバイオ製薬<br>京都大学<br>医学研究科      | 活性化B細胞型(ABC)-DLBCLに対する効果の確認     |
|                                                                                                                                              | 参考プレスリリース： <a href="https://www.symbiopharma.com/news/20210802.pdf">https://www.symbiopharma.com/news/20210802.pdf</a>       |                               |                                 |
|                                                                                                                                              | ベンダムスチン<br>・リゴセルチブ<br>その他の薬剤との併用                                                                                             | シンバイオ製薬<br>東京大学<br>医科学研究所     | 多様な作用機序、併用効果等による新たな有用性の発掘・検証    |
| 参考プレスリリース： <a href="https://www.symbiopharma.com/news/20210128.pdf">https://www.symbiopharma.com/news/20210128.pdf</a>                       |                                                                                                                              |                               |                                 |
| <b>リゴセルチブ</b><br><br><ul style="list-style-type: none"> <li>● Ras模倣分子</li> <li>● 微小管不安定化作用</li> <li>● PLK阻害</li> <li>● 新たな作用機序</li> </ul>    |                                                                                                                              | シンバイオ製薬<br>群馬大学<br>医学系研究科     | LUBAC阻害に関連する作用解析、固形腫瘍に対する適用の可能性 |
|                                                                                                                                              | 参考プレスリリース： <a href="https://www.symbiopharma.com/news/20210715_02.pdf">https://www.symbiopharma.com/news/20210715_02.pdf</a> |                               |                                 |
|                                                                                                                                              | リゴセルチブ＋<br>免疫チェック<br>ポイント阻害剤                                                                                                 | オンコノバ社<br>非臨床研究               | メラノーマに対する相乗的抗がん活性               |
|                                                                                                                                              |                                                                                                                              | オンコノバ社<br>医師主導治験<br>フェーズ1/2試験 | KRAS遺伝子変異陽性<br>非小細胞肺癌           |
|                                                                                                                                              | リゴセルチブ                                                                                                                       | オンコノバ社<br>医師主導治験<br>フェーズ2試験   | 劣性栄養障害性表皮水泡症に伴う扁平上皮がん           |

# 進捗状況④ ブリンシドフォビル ( i )

## 2021年12月期第3四半期：ブリンシドフォビル (BCV) の進捗状況

- 2021年8月16日（米国時間）、小児Ad v 対象の臨床第Ⅱ相試験において、第一例目（F P I）の投与を開始



### ◆ 2019年9月独占的グローバルライセンス導入

ブリンシドフォビルは核酸アナログで二本鎖(ds)DNAウイルス5種類に対するin vitro活性を有し、骨髄抑制は無く腎毒性のリスクも低いため造血幹細胞移植後及び臓器移植後のウイルス感染の管理を容易にする。

米FDAからサイトメガロウイルス、アデノウイルス、及び天然痘を対象としてファストトラック指定を受けた。また欧州EMAからアデノウイルス、サイトメガロウイルス、及び天然痘を対象としてオーファン指定を受けている。

- ◆ 2021年3月10日（米国時間） BCV注射剤
- 小児Ad V対象に臨床第Ⅱ相試験のINDを米FDA申請
- 4月26日ファストトラック指定を受ける
- 8月16日にFPIを達成

- 米国及び英国において有力～10施設を選定
- 症例数～30症例

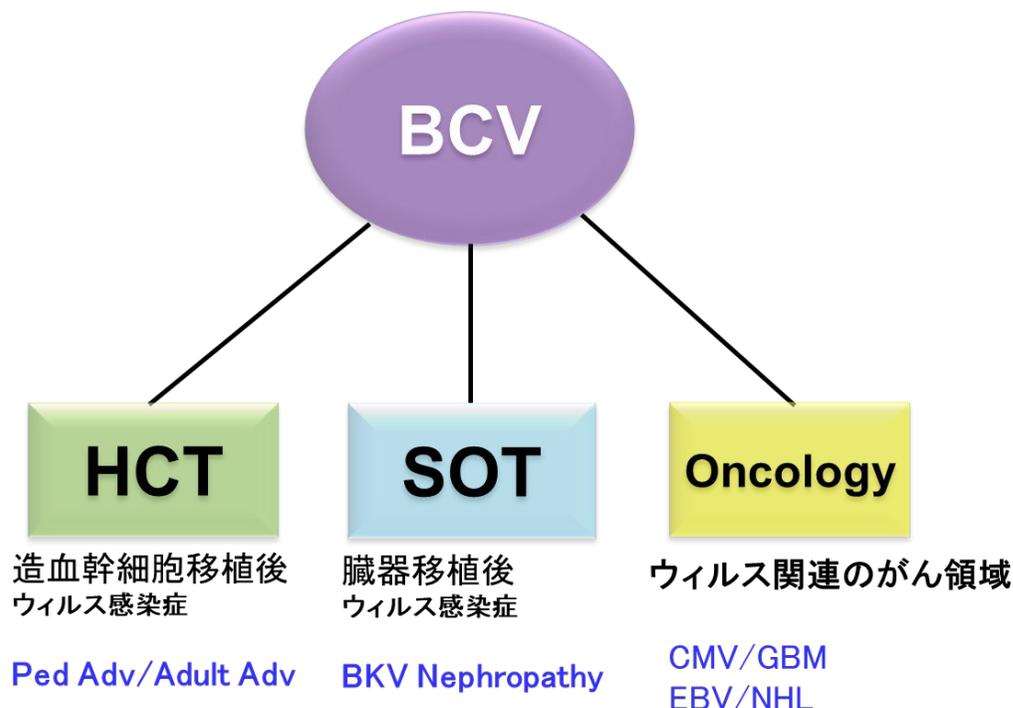
- ◆ Chimerix社 BCV経口剤
- 2021年6月7日に米FDAより
- 天然痘適応（バイオテロ対策）の新薬承認取得

# 進捗状況⑤ ブリンシドフォビル (ii)

## 2021年12月期第3四半期：ブリンシドフォビル (BCV) の進捗状況

- 抗ウイルス活性と抗がん活性のMOA（作用機序）に注目した二刀流のBCV注射剤の戦略策定中
- 対象領域：造血幹細胞移植後のウイルス感染症（HCT）、臓器移植後のウイルス感染症（SOT）、ウイルス関連のがん領域（Oncology）

“二刀流のMOA”（抗ウイルス活性+抗がん活性）を活かして展開



---

第1部：ビジネスモデル

第2部：市場環境

第3部：競争力の源泉

第4部：事業計画

第5部：リスク情報

---

# リスクの概要①

| リスクの種類               | リスクの内容                                                                 | 事業計画の遂行に与える影響                                       | 当社の対応策                                                                                                                             |
|----------------------|------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 研究開発および収益確保の不確実性について | 新薬候補品の開発、規制当局からの承認、製造及び販売の各段階において成功を収め採算性を確保する必要があります。                 | 開発が遅延し、または中止となる場合、当社の財政状態および経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。 | 当社ではパイプラインを複数保有するとともに、絶えず新規の候補薬の探索に努めています。科学的専門家会議の検討を経て、POCが確認された開発候補品を優先して導入するとともに、開発リスクの軽減のため、既存パイプラインの薬剤につき、併用療法の可能性も追求しております。 |
| 特定の取引先に依存するリスク       | 取扱製品・開発中の薬剤は、それぞれ海外のライセンス先からライセンスを受けております。また販売中の製品の製造はライセンス先に委託しております。 | ライセンス元の企業に開発・販売等について依存するリスクがあります。                   | ライセンス元とは円滑な情報交換に努め、問題の発生を未然に防止する体制を構築しています。また、製品の調達にあたっては、必要な製品の数量および品質の確保につき適切に対応できるように努めております。                                   |
| 特定の製品に依存するリスクについて    | 現在、製品化しているものは、トリアキシン®一種類しかありません。                                       | トリアキシン®についての競合品等の出現によって市場での供給力が低下する可能性があります。        | トリアキシン®の適応をDLBCLに拡大することによって市場は拡大し、また新剤形である液剤トリアキシン®の販売開始により、更なる販売の増加を企図しております。なお、液剤トリアキシン®については、EAGLE社の特許によって保護されています。             |
| サプライチェーンにおけるリスク      | 販売中の製品の製造・輸入・日本における検査・出荷及び流通業者への委託販売のサプライチェーンにおいて問題が生じた際のバックアップ体制。     | サプライチェーンに問題が生じた場合、製品供給が途絶える可能性があります。                | 製品の製造においてバックアップを確保し、また、流通経路においても、相互代替可能になるように、卸業者を2社を活用し、製品倉庫を東西に設置しております。                                                         |

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

## リスクの概要②

| リスクの種類      | リスクの内容                                                                            | 事業計画の遂行に与える影響                                                                                       | 当社の対応策                                                                                                                                                |
|-------------|-----------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 販売体制の確立について | トレアキシン®の販売につき、販売委託先を通じての販売から自社販売に切り替えたことによる円滑な販売の遂行への影響。                          | 第三者に委託して販売することによって、相当な手数料を支払っていたが、自販体制構築によって、専門性あるMRの確保・卸業者との直接取引・在庫保管体制の整備・システム構築等が着実に行われる必要があります。 | 2020年12月より自社販売を開始し、市場のニーズの的確な把握および迅速な対応により、患者さんの利益に資すると共にトレアキシン®が持つ事業価値の最大化を図っています。なお、体制整備も適切に完了し、自販化により販売委託手数料の減額が実現し、当社の利益率の大幅な改善が実現しました。           |
| 海外治験の遂行について | 抗ウイルス薬ブリンシドフォビル（Brincidofovir：BCV）につきましては、米国および英国での治験に着手、治験の遅延等が生じた場合、経営への影響が大きい。 | 海外での治験は初の試みであり、遅延等が生じるリスクがあります。                                                                     | ライセンス元キメリクス社の支援も受けながら、米国の有力治験実施会社シネオス社を治験業務委託先として起用し、米国FDAに治験届を提出しFAST TRACKの指定を受けております。英国においても同社を起用し、治験届の準備中です。また、2021年10月にシンバイオファーマUSAの本格稼働を開始しました。 |
| 資金調達について    | 開発投資に必要な資金確保が行えなかった場合、開発中止など事業計画に与える影響が大きい。                                       | 必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に懸念が生じる可能性があります。                                                     | 新株予約権発行による資金調達によって体制整備は完了し、黒字確保によって、当面の資金調達はほぼ終わっております。新たに銀行から融資枠の設定を受け、必要に応じて運転資金需要に対応できるように備えております。                                                 |

詳細は、当社有価証券報告書をご参照ください

# 本資料の取り扱いについて

当該資料は当社の事業内容を説明するために作成されたものであり、勧誘を目的に作成されたものではありません。

当該資料に記載された内容については合理的な注意を払うよう努めておりますが、当該資料の作成時において入手し得た情報に基づき、当社の判断において記載したものです。市場環境等当社外の事項に関する情報については、その正確性、完全性について保証するものではなく、また、業績の見通し等の将来に関する記述については、リスクや不確実な要素が含まれているため、実際の業績は大きく異なるものとなる可能性があり、これについて確約や保証を与えるものではありません。

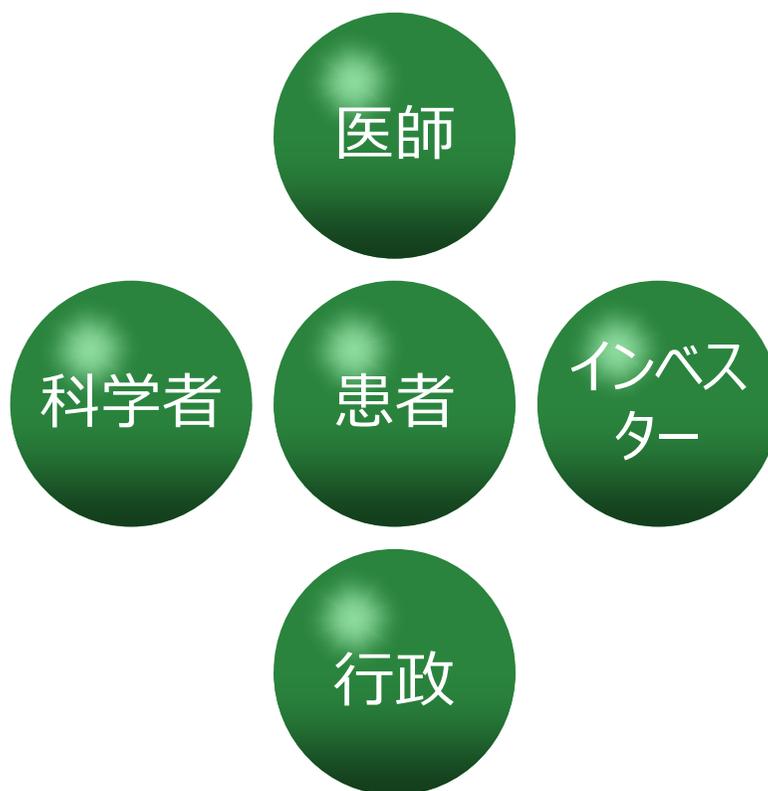
投資等を行われる際には、投資家ご自身の責任と判断で行っていただくことを前提に当該資料をご提示させていただきます。

なお当該資料に記載されている開発品の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではありません。

当資料は、本決算発表の時期（次回2022年2月）を目途に決算説明会資料等として更新し、開示する予定です。

また、事業進捗に関する内容に変更がある場合には、四半期決算短信等において当該変更事項を開示する予定です。

## “共創・共生”の志



わかちあう、創薬の喜び