

Solasia

事業計画及び成長可能性に関する事項

- Better Medicine for a Brighter Tomorrow -

2021年12月22日

ソレイジア・ファーマ株式会社（証券コード：4597）

<https://solasia.co.jp/>



1. 会社概要
 2. 事業環境、ビジネスモデル
 3. 製品/開発パイプライン
 4. 財務情報
 5. 事業目標、成長戦略
 6. リスク情報
- Appendix

1. 会社概要

ソレイジア・ファーマ株式会社は、日本及びアジア諸国の医療に貢献するため、海外又は国内の製薬企業又はバイオベンチャー企業から有望な新薬候補品を導入し、日本及びアジア諸国における臨床試験を中心とした開発活動を通じ、製品を医薬品市場に供給することを目的としている企業です。

企業理念 - 患者さんの明るい未来のためにより良い医薬品を提供する

商号	ソレイジア・ファーマ株式会社 <SOLASIA : SOL(太陽)+ASIA(アジア)>
創業	米国での準備会社 : 2006年、日本国内創業 : 2008年
事業内容	がん治療薬、がん支持療法医薬品等の開発及び販売
事業拠点	東京都港区、中国上海市、北京市、広州市 中国 : 100%子会社 (Solasia Medical Information Consulting (Shanghai) Co. Ltd.)
従業員数 (2020/12)	21名 (単体 : 日本) 77名 (連結 : 日本及び中国)
主要会社機能	開発機能 (臨床開発・薬事) 自社営業機能 (中国上海市, 北京市, 広州市)
株主分布 (2021/06)	国内個人・その他 57.2 % 法人、機関投資家その他等 42.8 % (第1順位株主 : 伊藤忠商事 17.4%、第2順位株主 : マルホ 8.6%)

2006	Corporate	米国創業 (MPM Capital と伊藤忠との合併)
2008	Corporate	日本法人開設 (東京)
	SP-01	導入、臨床試験開始
2011	SP-02	導入、臨床試験開始
	Corporate	中国事務所開設 (北京)
2014	Corporate	中国子会社設立 (上海)
2015	SP-03	導入、開発開始
2016	SP-02	第Ⅱ相国際共同臨床試験開始
2017	Corporate	新規株式上場 (IPO: 東京証券取引所マザーズ市場)
	SP-04	導入、臨床試験開始
2018	SP-03	日本：製品上市
	SP-04	第Ⅲ相国際共同臨床試験開始
2019	SP-01	中国：製品上市
	SP-03	中国：製品上市
2020	SP-05	導入、第Ⅲ相国際共同臨床試験開始
	SP-03	韓国：製品上市
2021	SP-02	日本：製造販売承認申請

代表取締役社長 荒井 好裕

略歴

- ・ 東京薬科大学大学院 薬学研究科修了（薬学修士）、薬剤師
- ・ ウェールズ大学経営大学院 修士課程終了（MBA）
- ・ 元サール薬品株式会社（現ファイザー）、元アムジェン株式会社 臨床開発部長
- ・ 2007年当社参画 開発本部長、2013年当社代表取締役社長就任

承認取得品目 (当社入社前)

サイトテック（NSAIDによる胃潰瘍・十二指腸潰瘍）
アドバフェロン（C型肝炎）
ロミプレート（特発性血小板減少性紫斑病）
ランマーク（多発性骨髄腫による骨病変及び固形癌骨転移による骨病変）
ベクティビックス（KRAS 遺伝子野生型の治癒切除不能な進行・再発の結腸・直腸癌）



取締役CFO管理本部長 宮下 敏雄

略歴

- ・ 立教大学経済学部経済学科卒業
- ・ 元株式会社そーせい（現そーせいグループ）、ARAKIS Ltd.、VP 経営企画部長
- ・ 元響きパートナーズ株式会社 創業、取締役
- ・ 2011年当社参画CFO、2015年当社取締役CFO管理本部長就任
- ・ (そーせい) 資金調達、株式公開、英国ARAKIS社(NVA237, QVA149)買収、国内海外IR、事業計画資本政策等責任者



マネジメントメンバー（2）

マネジメント メンバー

- 篠崎 康二 事業開発本部長（元伊藤忠商事、MPMキャピタル）
- 永濱 文子 開発本部長（元アムジェン、ロシュ）
- 坂巻 茂 信頼性保証本部長（元アムジェン、武田バイオ）
- 眞鍋 泰朗 マーケティング本部長（元エーザイ、オンコリスバイオフーマ）
- Vivian Zhang 中国子会社ジェネラルマネージャー（元ロシュ、チャイタイ）

社外取締役

- Stanley Lau (元Baxter Healthcare International China GM)
- 栄木 憲和 (元バイエル薬品 代表取締役社長)
- 水川 二郎 (LTLファーマ 取締役会長)

社外監査役

- 荒木 進 (元東海銀行、元クオール専務取締役)
- 松尾 眞 (弁護士：桃尾・松尾・難波事務所、元アステラス、東レ等役員、現カプコン、住友林業、大正製薬等役員)
- 山川 善之 (響きパートナーズ代表取締役社長、元そーせいグループ代表取締役)

医学 アドバイザー

- 西尾 和人 (医師、医学博士、近畿大学医学部教授)
- 各領域の専門家との個別コンサルタント契約



2011
中国北京に代表事務所開設

2014
中国上海に子会社設立 「Solasia Medical Information Consulting (Shanghai) Co. Ltd.」

2018
中国広州にオフィス開設



ジェネラルマネージャー
Vivian Zhang (略歴：元ロシュ等, 元臨床医)

Medical and RA
Dept

Marketing
Dept

Sales
Dept

Office Mgt.
Dept

中国開発薬事部長
Li Zhou
(略歴：元サノフィ,
MSD等)

マーケティング部長
Jingjing Lu
(略歴：元MSD)

営業部長
Jimmy Guo
(略歴：元ロシュ等,
元臨床医)

MR* 40人
(北京・上海・広州)



- **70% 外資系企業出身者**
- **85% 2年以上のがん領域での営業経験者**

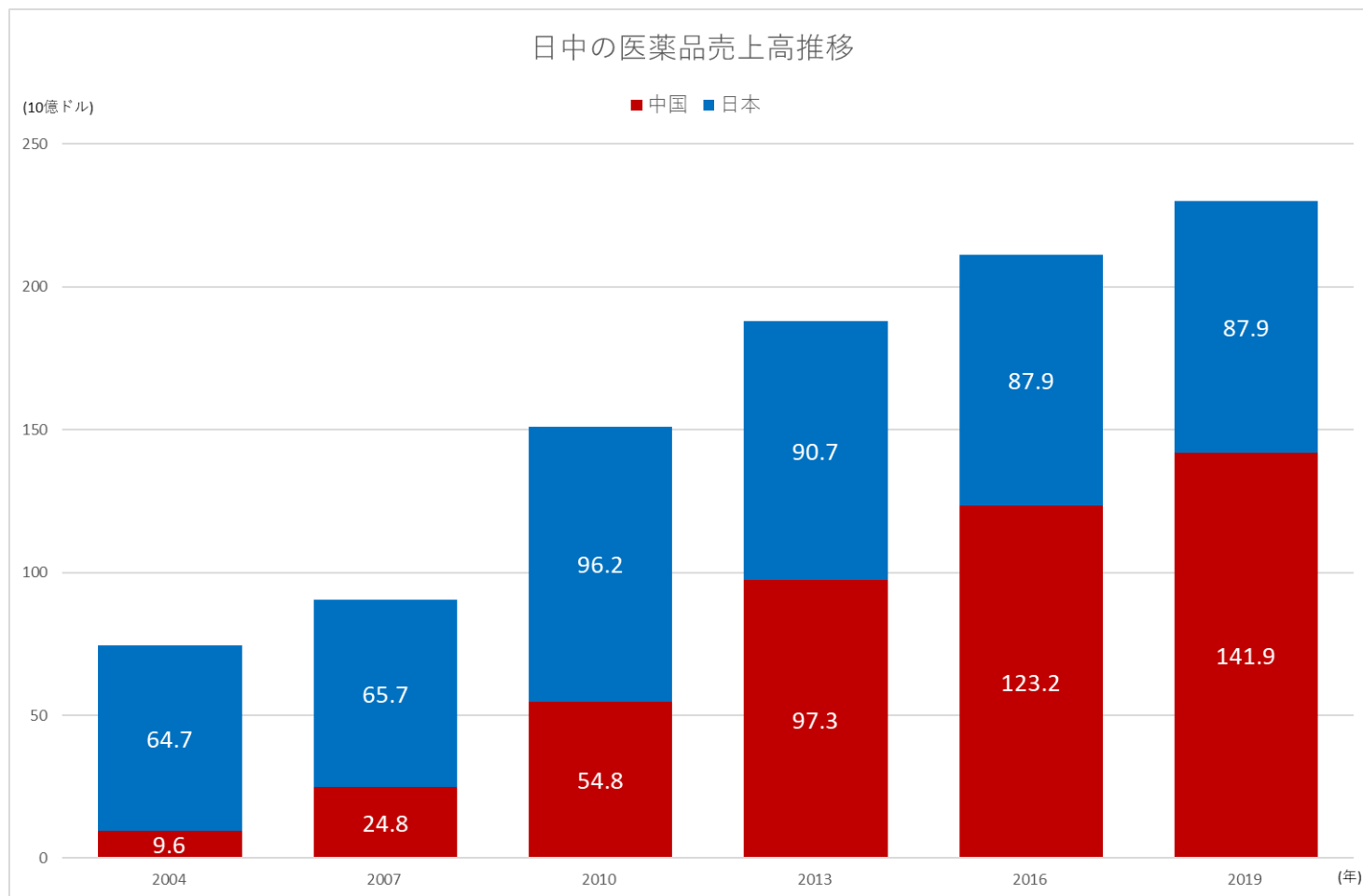
* MR: Medical Representative (医薬情報担当者)



2. 事業環境、ビジネスモデル

世界の医薬品市場規模上位の日本と中国を中心とするアジア市場に注力

- ✓ 世界の医薬品市場の売上は全体で1兆2,624億ドル（2019年）
- ✓ 医薬品市場（国別） --- 第1位 米国, **第2位 中国, 第3位 日本**



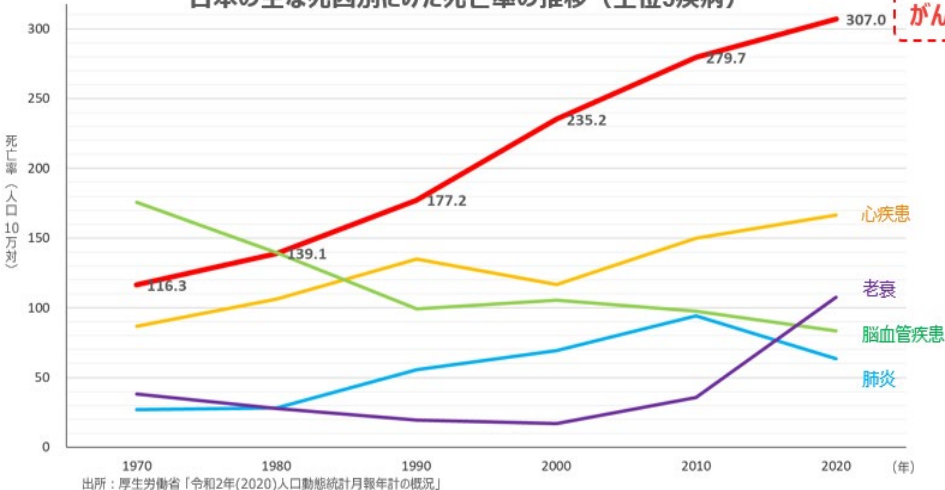
出典：日本製薬工業協会 DATABOOK2021

出所：Copyright© 2021 IQVIA. IQVIA World Review 2004から2019をもとに当社作成（無断転載禁止）

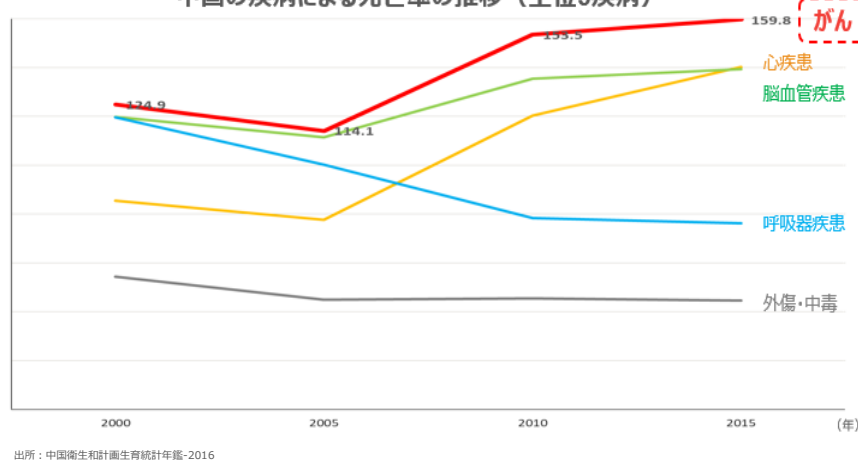
II がん領域の開発パイプラインに特化

医療ニーズが高まるがん領域を戦略的疾患領域として事業展開

日本の主な死因別にみた死亡率の推移（上位5疾病）



中国の疾病による死亡率の推移（上位5疾病）



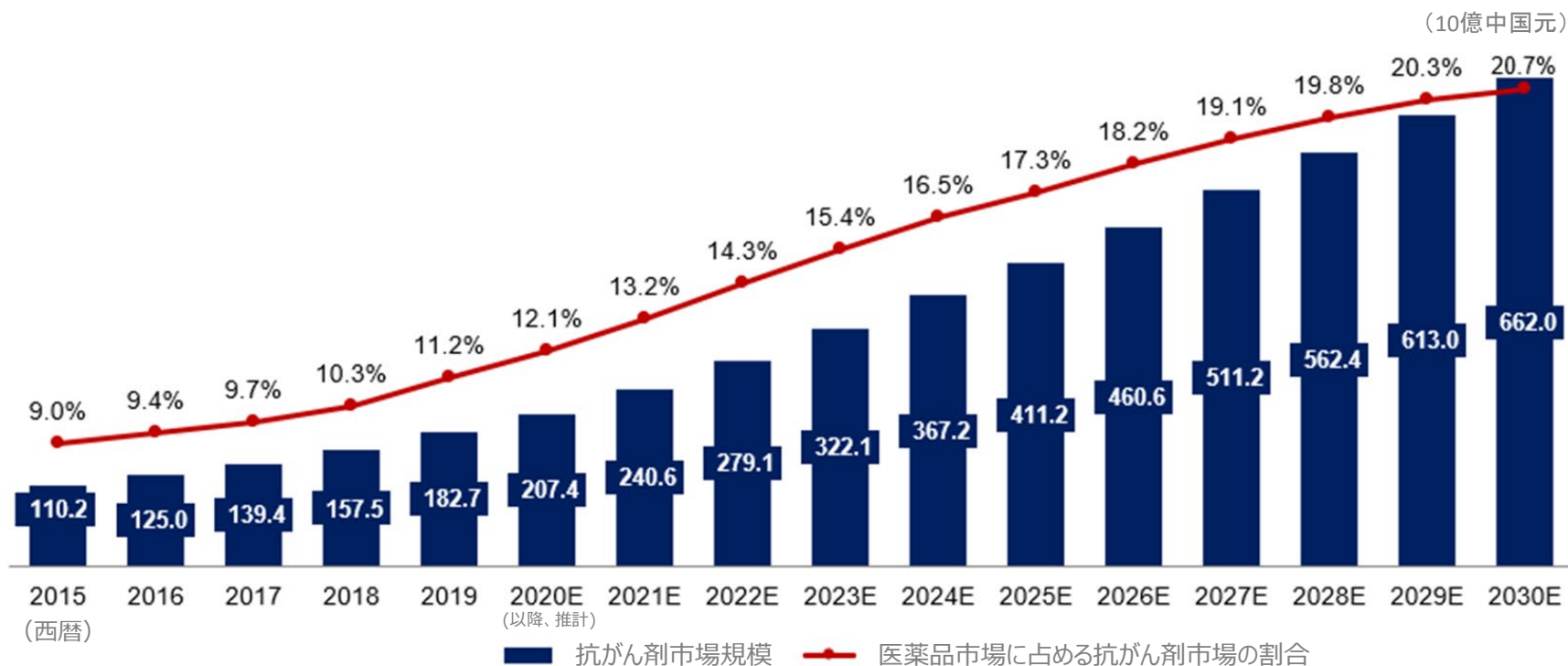
がん治療の特性

- ✓ がん治療は、単剤による療法よりも、異なる作用機序をもつ複数の薬剤による併用療法が主流であり、また日米欧で参照されるがん治療に関するNCCNガイドライン等では、多くのがん種に対する治療において、有効性及び安全性に関するデータが豊富である化学療法剤が推奨されている。

がん治療サポーターティブケアの特性

- ✓ 副作用のコントロールは、がん治療に係るクオリティ・オブ・ライフ（QOL）の向上に重要であり、副作用のコントロールができないと、抗がん剤の減量やがん治療の中止などが生じ、計画したがん治療が完遂できない場合もある。
- ✓ 副作用をコントロールする薬剤は、特定のがん種に限らず様々ながん種への処方が可能

中国の抗がん剤市場の現状と今後の動向



出典：China Oncology Innovative Drug Market Research Report, Frost & Sullivan Consulting Co., April 2020

- ✓ 中国抗がん剤市場は2020年には3.3兆円*へ、2030年には10.6兆円*へ成長する見通し
- ✓ 中国抗がん剤市場は毎年約14%成長している（過去5年間平均）
- ✓ 中国抗がん剤の中国全医薬品市場に占める割合も増加傾向

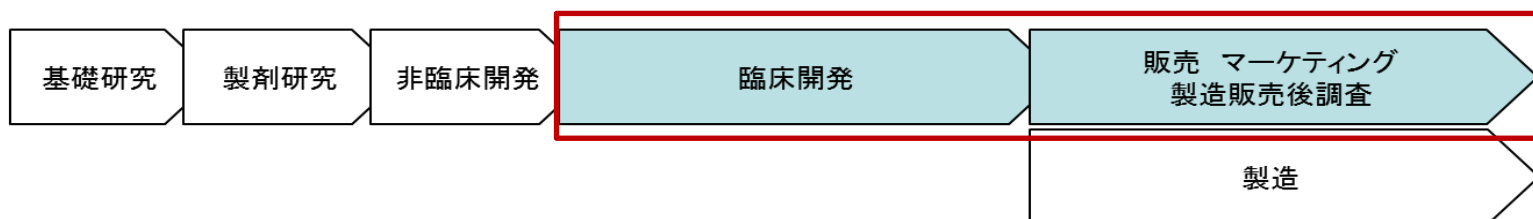
* 1中国元(RMB)=16円で換算

Ⅲ リスクコントロールを重視したビジネスモデルの確立

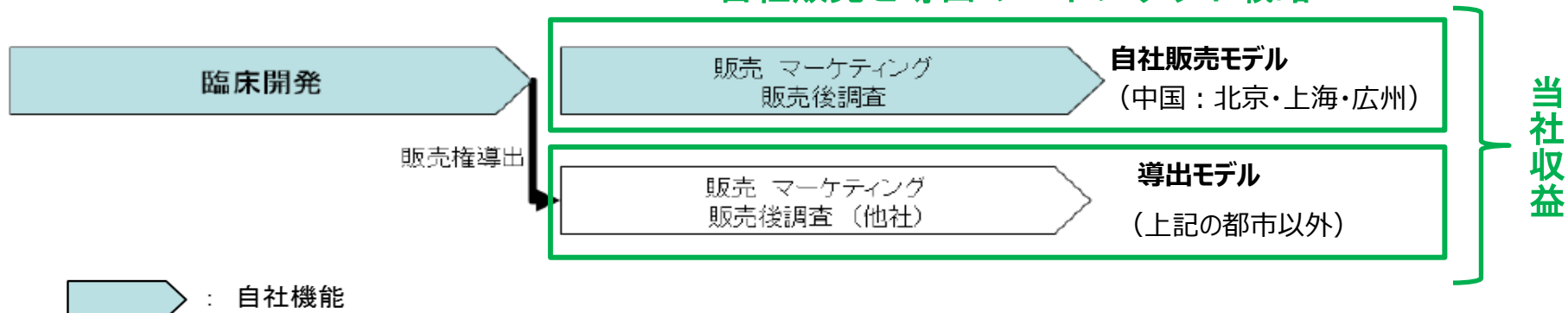
- ✓ 臨床開発及び販売に注力することで、リスクを限定した事業運営
- ✓ 販売については、自社販売モデルと導出モデルを併用し、自社販売体制により収益性を確保すると共に、販売権導出により販売組織等の固定費比率をコントロールするビジネスモデルを志向

製薬バリューチェーンでの当社ビジネスの位置付け

臨床開発段階以降の事業活動に経営資源を集中



自社販売と導出のハイブリッド戦略



がん領域特化という他社との差別化を図った製品ポートフォリオを有し、下記の導入・開発・事業化実績により安定した事業基盤を構築

- ✓ 創業以来5つの開発品を導入
- ✓ うち、2製品は販売開始
 - SP-03（エピシル® 口腔用液）：販売開始（日本、中国、韓国）
 - SP-01（Sancuso®）：販売開始（中国）
- ✓ 4つの製品（SP-01～04）の販売権導出を達成

口内炎(化学療法、放射線療法)疼痛緩和、医療機器

エピシル® 口腔用液



（日本：Meiji Seika ファルマより販売）
（中国：自社及びLee's Pharmaにて販売）
（韓国：Synex社より販売）

経皮吸収型制吐剤

Sancuso®（善可舒®）



（中国：自社及びLee's Pharmaにて販売）

3. 製品/開発パイプライン

製品/開発パイプライン - 開発状況 (2021年11月末時点) -

販売製品

製品名 (開発コード)	適応/効果	地域	非臨床	臨床試験			申請	承認/ 上市	進捗状況	提携先 (対象地域)
				第I相	第II相	第III相				
Sancuso® (SP-01)	悪心・嘔吐 (CINV)	中国							2019年販売開始	自社販売 (北京・上海・広州), Lee's Pharma (その他中国)
エピシル® 口腔用液 (SP-03)	口内炎疼痛緩和 <医療機器>	日本							2018年販売開始	Meiji Seika ファルマ (日本)
		中国							2019年販売開始	自社販売 (北京・上海・広州), Lee's Pharma (その他中国)
		韓国							2020年販売開始	Synex (韓国)

開発品

開発コード	対象疾患	地域	非臨床	臨床試験			申請	承認/ 上市	進捗状況	提携先 (対象地域)
				第I相	第II相	第III相				
SP-02	末梢性T細胞リンパ腫 (PTCL)	日本							承認申請済	日本化薬 (日本)
		韓国、台湾、香港							第II相最終試験完了：主要評価項目達成、承認申請準備中	HB Human BioScience (南米)
		中国							第II相 / III相 臨床試験準備中	
		米国							前期第II相臨床試験完了	
		欧州							非臨床試験完了	
SP-04	末梢神経障害 (CIPN)	日本等						非臨床試験実施中* (タキサン製剤対象) <small>*プラチナ製剤(Ox)対象P3終了：結果未達</small>	マルホ (日本)	
SP-05	大腸がん	日本						国際共同第III相臨床試験実施中：症例登録完了	-	

開発候補品：

エディットフォース : エディットフォース基盤技術であるPPR (pentatricopeptide repeat) タンパク質プラットフォーム技術を用い、がん領域の中からRNA編集をベースとした複数プロジェクト (対象疾患、標的遺伝子配列、作用機序) を推進

ジーンケア研究所 : 各種消化器癌及び卵巣癌等の腹膜転移 (腹膜播種) 及び付随する腹水貯留の治療を目指し、核酸医薬RECQL1-siRNAによる新しい治療法の開発を推進

効能・効果

がん化学療法による悪心・嘔吐
(一般名：グラニセトロン塩酸塩)

特徴・競合薬比較

- ✓ 唯一の経皮吸収型セロトニン5-HT₃ RA(受容体拮抗剤)
- ✓ 1回の投与(貼付)で5日間効果が持続することから、通常の化学療法(1~5日投与)の投与期間をカバーすることができる。外来使用も可能
- ✓ 2019年6月(上市3ヶ月後)、中国臨床腫瘍学会(CSCO)*発行初回ガイドラインに、がん治療時の標準的な制吐療法の選択肢として新たに収載

事業化

中国販売開始済

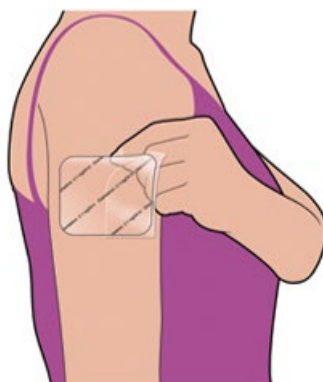
- ✓ 2019年3月 販売開始(上市)
 - 北京市、上海市、広州市 --- 自社販売
 - その他中国地域 --- Lee's Pharmaより販売

当社収益構造

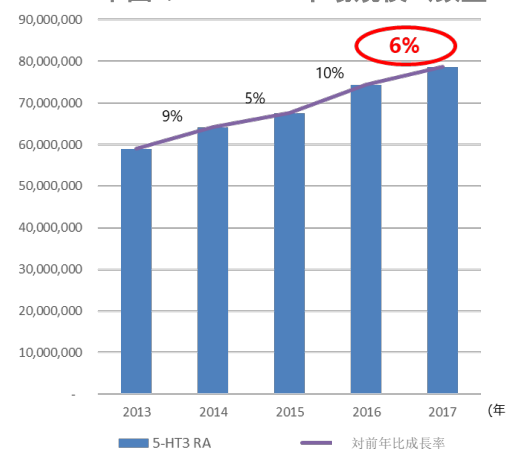
- ✓ 自社販売：製品販売収益
- ✓ 事業提携：製品販売収益、販売マイルストーン収益



(中国製品パッケージ)



(Sancuso®の貼付)

中国の5-HT₃ RA市場規模(数量ベース)

出所：IMSデータ(2013~2017)

Sancuso® 中国上市セミナー (2019年3月16日開催)

場 所： 中国上海

議 長： Li Jin 教授 (CSCO理事長)

Qin Shukui 教授 (CSCO副理事長)

Ma Jun 教授 (CSCO副理事長)

参加数： 中国全土より総勢約 200 名のがん専門医が集結

Solasia

LEE'S PHARM.
李氏大薬廠

(左より) 于世英教授 (武汉同济医院)、马军教授 (哈尔滨血液研究所, Vice Chairman of CSCO)、荒井好裕 (当社代表取締役社長)、秦叔逵教授 (中国人民解放军第八一医院, Vice Chairman of CSCO, Chairman of CRPC)、李进教授 (上海东方医院, Secretary-general and chairman-elect of CSCO, Chairman of FACO, Chairman of ASMC)、王杰军教授 (上海长征医院)、梁军教授 (北京大学肿瘤医院)

CSCO: Chinese Society of Clinical Oncology (中国临床肿瘤学会)

CRPC: The Committee of Rehabilitation and Palliative Care, China (中国抗癌协会癌科/パリエーション緩和ケア委員会)

FACO: Federation of Asian Clinical Oncology (アジア臨床腫瘍学会連合; 日中韓合同による臨床腫瘍学会)

ASMC: Anti Tumor Drugs Safety Management Committee (中国临床肿瘤学会抗肿瘤药安全管理专门委员会)

CSCOとして初となる制吐薬適正使用ガイドラインを発行 (2019年6月)

→ 『がん治療時の悪心及び嘔吐の治療用ガイドライン』にSancuso®が収載

CSCO『がん治療時の悪心及び嘔吐の治療用ガイドライン』(一部抜粋)

高/中度致吐リスク抗腫瘍薬多天方案悪心嘔吐予防薬物の選択及用法推荐
和訳) 高/中等度の催吐性リスクの抗悪性腫瘍薬の複数日投与に対する悪心・嘔吐予防薬の選択と使用法の推奨

組成	用法
5-HT ₃ RA	在首次及后续给予中/高度致吐风险药物前均应考虑使用5-HT ₃ RA预防
	是否重复使用及给药频率取决于药物和它的给药模式 (注射/口服/经皮) <ul style="list-style-type: none"> 短效5-HT₃RA: 每日给药^[32-33] 帕洛诺司琼: 0.25mg IV/0.5mg PO 可以满足3日化疗方案的需求; 对于超过3天的化疗, 有少量临床研究数据显示重复给药 (隔日一次^[34-35]或一日一次^[36], 共2-3次) 具有一定的优势; 根据现有证据, 重复使用帕洛诺司琼静脉滴注0.25mg是安全的
	<ul style="list-style-type: none"> 格拉司琼透皮贴片: 疗效稳定持续7天, 每7天可重复使用。在中或高格拉司琼透皮贴片 (=Sancuso®) 致吐风险化疗方案中, 不劣于每日口服格拉司琼 2mg^[10-37] <small>和訳) 効果は7日間持続、7日毎に投与が可能。高/中等度の催吐性の化学療法レジメンにおいて、連日経口投与グラセトロン2mgに非劣性予防方案中不包含NK-1RA時、優先選択帕洛诺司琼或格拉司琼缓释制剂</small>

Qin Shukui教授のコメント (本ガイドライン編集委員長、CSCO副理事長)

- ✓ HEC/MEC (高度/中等度催吐性リスク抗がん剤) に対する制吐療法として、本ガイドラインではSancuso®を推奨
- ✓ 化学療法を受ける患者にとって新しい非侵襲的で且つ安全な選択肢となる

中国：Sancuso®のポテンシャル

【5-HT₃ RAの市場性*】

“轻松一贴，全程舒缓”

中国5-HT₃ RAの市場は800億円以上、 成長率：6%（数量ベース）

【Sancuso®の強み】

市場の90%以上は注射剤であり、その効果持続時間は数時間-2,3日間に留まる

- ✓ Sancuso®は1回の貼付で最長7日間効果が持続する。簡単且つ長時間効果持続
- ✓ 化学療法で誘発される急性及び遅延性の数日間に渡る悪心嘔吐全般のコントロールが可能
- ✓ 外来使用可能。患者のQOL(生活の質)向上への貢献期待



～ 当社MR（Medical Representative:医薬情報担当者）によるターゲット病院でのセミナーの様子～

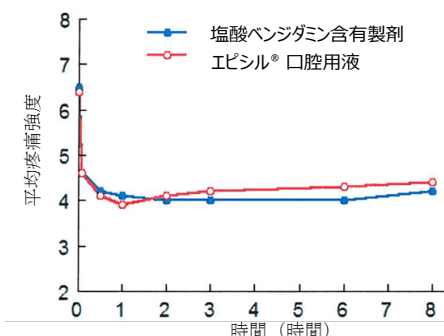
* IQVIA CHPA DATA,12M2016~12M2019, 1中国元(RMB)=16円で換算

使用目的又は効果	化学療法や放射線療法に伴う口内炎で生じる口腔内疼痛の管理及び緩和を物理的作用により行う（医療機器：局所管理ハイドロゲル創傷被覆・保護材）
特徴・競合品比較	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 厚生労働省資料^(※1)によれば、通常の抗がん剤治療に伴う口内炎の発生頻度は30～40%であり、抗がん剤と頭頸部への放射線治療併用時の発生頻度はほぼ100% ✓ これまで確立した標準治療はなく、対症療法が主流であった ✓ 適用5分後から効果を発揮し、8時間効果が持続（臨床試験成績より）
事業化	<p>＜日本＞ 販売開始</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 2018年5月 Meiji Seika ファルマより販売開始 <p>＜中国＞ 販売開始</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 2019年7月 販売開始（上市） <ul style="list-style-type: none"> ➢ 北京市、上海市、広州市 --- 自社販売 ➢ その他中国地域 --- Lee's Pharmaより販売 <p>＜韓国＞ 販売開始</p> <ul style="list-style-type: none"> ✓ 2020年9月 韓国Synex社より販売開始
当社収益構造	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 自社販売(中国)：製品販売収益 ✓ 事業提携(日本、韓国)：製品販売収益、ロイヤリティ収益

エピシル® 口腔用液



(写真：日本販売品)

Grade.3 口蓋垂周囲に潰瘍・偽膜^(※2)

疼痛緩和持続時間

※1) 出所：厚生労働省「重篤副作用疾患別対応マニュアル 抗がん剤による口内炎」

※2) 出所：「口腔粘膜炎評価マニュアル」 Oral Supportive Care for Cancer Committee (OSC³)

※3) 7,660円/1本 (10mL入), 本日現在

episil® 中国上市セミナー (2019年7月19日開催)

場 所： 中国成都 (CRPC年次総会)
議 長： Qin Shukui 教授 (CSCO副理事長)
Hu Chaosu 教授 (CACA元会長)
参加数： 中国全土より総勢約400名の専門医が集結



(左より) 沈志祥教授 (瑞金医院)、王杰军教授 (上海长征医院、Chairman of SCRC)、荒井好裕 (当社代表取締役社長)、秦叔逵教授 (中国人民解放军第八一医院、Vice Chairman of CSCO、Chairman of CRPC)、胡超苏教授 (复旦大学附属肿瘤医院、Former Chairman of CACA)、孙艳教授 (北京大学肿瘤医院)

CRPC : The Committee of Rehabilitation and Palliative Care, China (中国抗癌協會癌阻ハビリテーシヨン緩和ケア委員会)
CSCO : Chinese Society of Clinical Oncology (中国臨床腫瘍学会)
CACA : The China Anti-Cancer Association Nasopharyngeal Carcinoma Committee (中国抗癌協會鼻咽頭癌委員会)
SCRC : Supportive Care and Rehabilitation Committee, China (中国がん支持療法リハビリテーシヨン委員会)

中国初となる『がん治療による急性口腔粘膜炎の診断と予防に関する臨床ガイドライン』をCSCO(中国臨床腫瘍学会)が発行 (2021年5月)

→ 新たな治療選択肢としてepisil®が推奨

臨床腫瘍学雑誌 2021年5月第26巻第5期 Chinese Clinical Oncology, May 2021, Vol.26, No.5

449

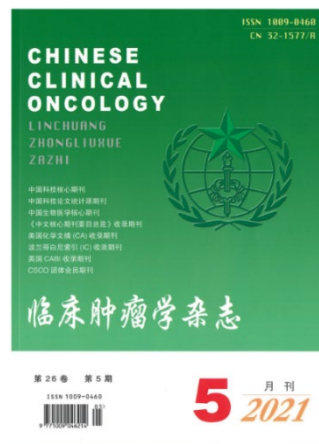
・ 指南と解説

抗腫瘍治療引起急性口腔粘膜炎の診断和防治专家共识*

中国臨床腫瘍学会抗腫瘍藥物安全管理專家委員會
中国臨床腫瘍学会腫瘍支持与康復治療專家委員會

口腔凝膠(益普舒®), 为进口的即用型、便携式制剂, 是一种基于脂质类的不含防腐剂的液体, 喷涂接触到口腔黏膜时能够自动聚集排列, 5分钟内即迅速地形成一层保护膜, 覆盖口腔溃疡面, 起到明显的止痛作用, 且可通过减少溃疡面的刺激, 改善进食, 促进创面愈合。2014年, Haljjeva等^[43]报道一项多中心、随机双盲、安慰剂对照的临床研究, 证实采用口腔凝膠(益普舒®)治疗头颈肿瘤放疗引起的RTOM患者, 5分钟即可快速起效, 保护口腔溃疡, 缓解疼痛症状。2018年, 秦叔逵等^[44]报道在中国进行了一项多中心、随机、单次使用、阳性对照的注册研究, 证实口腔凝膠(益普舒®)容易附着口腔黏膜, 成膜时间快(5分钟内), 使用6小时的局部镇痛效果要显著优于康涑™口腔溃疡含漱液($P=0.0022$), 一次用药缓解疼痛时间最长可持续8小时, 舒适而无刺激。因此, 患者一致反馈良好, 依从性好, 乐意接受治疗。

がん治療による急性口腔粘膜炎の診断と予防に関する臨床診療ガイドライン (一部抜粋)



中国臨床腫瘍学会発行
月刊誌 2021年5月号

「本ガイドラインの発行は、臨床腫瘍医の口腔粘膜炎に対する関心を高め、がん治療における口腔粘膜炎の治療を標準化することであり、非常に大きな意義がある」(がん支持療法およびリハビリテーション療法専門委員会委員長 Wang Jiejun 教授コメント)

中国：episil®のポテンシャル

“快速止痛， 饮食无忧”

【口内炎の想定患者数】

中国での化学療法又は放射線療法に伴う口内炎を発症する想定患者数は約80万人 (日本の4-5倍)*1

【episil®の強み】

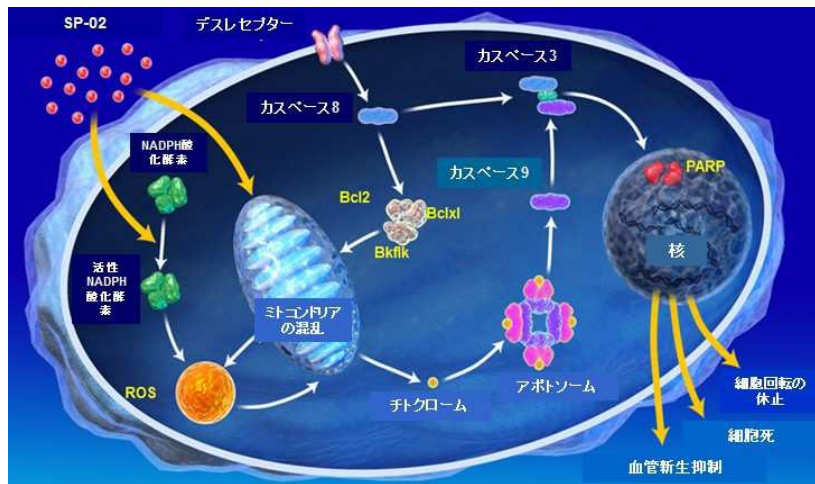
- ✓ 中国では化学療法又は放射線療法に伴う口内炎に対する、標準療法は確立されていない
- ✓ マウスウォッシュ等の既存品はあるが、希釈や1分間のうがい、使用後15分以上飲食禁止等の使用方法とされている
 - アンメット・メディカル・ニーズであり、新たに市場を開拓
 - 適用5分後から効果を発揮し、8時間効果が持続 (臨床試験成績より)
 - 中国国内での臨床試験成績*2を有す唯一の口内炎疼痛緩和材
 - 患者のQOL(生活の質)向上への貢献期待 「食べる・飲む・話す」

*1: IMS and Market Research

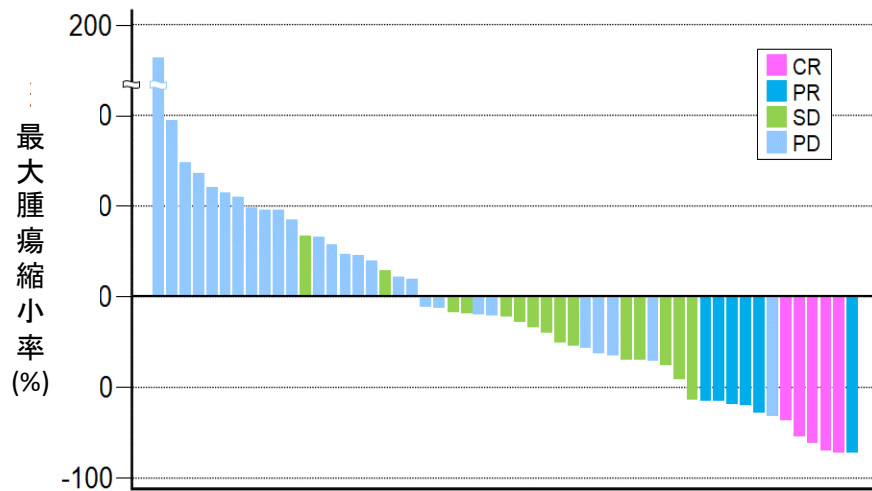
*2: 当社が中国で実施した、がん患者60例を対象とした多施設共同無作為化群間比較臨床試験では、エピシル®使用群において比較対照に比べて有意に口腔内疼痛スコアが軽減することが確認されており、また当該試験においてエピシル®を使用した患者の93%が次回の使用を希望する結果が示されております。(Yuan Cheng, et al. Local analgesic effect of a bioadhesive barrier-forming oral liquid in cancer patients with oral mucositis caused by chemotherapy and/or radiotherapy: a randomized multicenter, single-use, positive-controlled, open-label study. OncoTargets and Therapy, 2018:11 8555-8564)

<p>予定適応症</p>	<p>再発又は難治性の末梢性T細胞リンパ腫（PTCL）（一般名：ダリナパルシン） <適応拡大の可能性> その他血液がん（リンパ腫、白血病）、固形がん</p>
<p>開発背景</p>	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 欧州では未だ再発難治性のPTCL適応での承認薬はない（日米は他剤上市済） ✓ 日米欧で参照される悪性リンパ腫に対する診療ガイドラインにおいて、PTCLに対する標準治療は未だ確立されていないとされている ✓ 新規作用機序を有する治療薬や併用療法可能な治療薬の開発が期待されている
<p>特徴</p>	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 日米で承認されている他剤と比較して、SP-02は重い副作用（骨髄抑制、口内炎）が報告されておらず、安全性が高く長期投与、併用投与或いは高齢者への投与などの可能性が期待される

SP-02 推定作用機序



第II相試験における
抗腫瘍効果のウォーターフォール図



Source: Asian Multinational Phase II Study of Darinaparsin in Patients with Relapsed or Refractory Peripheral T-Cell Lymphoma. 2021 American Society of Hematology Annual Meeting Abstract #1376

開発状況/
今後の事業化

※当社は、ダリナパルシンに関する全世界の開発販売権を保有

＜開発状況＞

日本、韓国、台湾、香港： 第II相国際共同臨床試験（最終試験）終了

⇒ 2020年6月結果公表 「主要評価項目達成：有効性/抗腫瘍効果（最良効果）」
「安全性上の懸念は確認されず」

⇒ 2021年6月 承認申請済（日本）、申請準備中（韓国等）

➢ 対象患者: 末梢性T細胞リンパ腫 67症例登録

➢ 試験目的: 再発・難治性の末梢性T細胞リンパ腫患者に対するSP-02の有効性及び安全性の検討（承認申請に先立つ最終試験としての位置づけ）

米国：前期第II相臨床試験完了

中国：第II相臨床試験（最終試験）準備中

＜今後の適応拡大予定＞

その他血液がん(ATLL:成人T細胞白血病/リンパ腫、AML:急性骨髄性白血病)、
固形がん：非臨床試験実施中

＜事業化＞

日本： 日本化薬に開発販売権導出済

南米： HB Human BioScienceに販売権導出済

欧米、中国： 導出検討中

当社収益構造

事業提携:

製品販売収益、開発販売マイルストーン収益

推計患者数（日本）

PTCL患者数：約4,000人/年*

* 出典：国立がん研究センターがん対策情報センター 2015年-2019年推計値、Ryosuke A, et al. Pathol Int 2008 Mar;58(3):174-182

予定適応症

がん化学療法に伴う末梢神経障害（CIPN）（有効成分名：calmangafodipir）

特徴/
開発背景

- ✓ がん化学療法に伴う末梢神経障害に対する承認医薬品は存在しない（当社調査）
- ✓ 末梢神経障害は、タキサン製剤（パクリタキセル等）、プラチナ製剤（オキサリプラチン、シスプラチン等）、ビンカルカロイド製剤等のがん化学療法の主要薬剤において、顕著に発現することが知られている*1
- ✓ 生体に悪影響を及ぼす細胞内活性酸素の一種スーパーオキシドを分解する酵素スーパーオキシド・ジスムターゼ様の作用を持つ新規に化学合成された金属複合体

開発状況/
今後の事業化

※当社は、SP-04に関する日本、中国等の独占的開発販売権を保有

＜開発状況＞ 日本、韓国、台湾、香港：mFOLFOX6療法を実施する大腸がん患者を対象とした第Ⅲ相国際共同臨床試験完了。当該試験結果：主要評価項目未達

➤ 試験構成：

POLAR-A： 術後補助化学療法としてmFOLFOX6療法を実施する大腸がん患者を対象とする（目標280症例:権利導入元との共同開発）

POLAR-M： mFOLFOX6療法を実施する遠隔転移を有する大腸がん患者を対象とする（目標420症例:権利導入元との共同開発）

➤ 試験目的： SP-04のがん化学療法誘発性末梢神経障害の発現抑制効果及び安全性をプラセボと比較して検討する

→ 投与開始から3か月を超えた時点で複数件で発現した重度のアレルギー反応および過敏症（全例が回復している）により、権利導入元実施の欧米も含め、新規患者登録及び治験薬投与を2020年3月に中止。当初計画を変更し、2020年第3四半期に早期締め切り（データカットオフ）を実施。被験者登録数は当初計画700症例に対し592症例で終了。

現在、タキサン製剤誘発末梢神経障害対象の非臨床開発を実施中

＜事業化＞ 日本： マルホに販売権導出

当社収益構造

事業提携： 製品販売収益、開発販売マイルストーン収益

推計患者数（日本）

約70,000～180,000人/年*2（タキサン製剤投与）

*1 参照：厚生労働省「重篤副作用疾患別対応マニュアル 末梢神経障害」 *2 出典：国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」、厚生労働省平成29年（2017年）患者調査の概況、国立がん研究センターがん情報サービス「がんの統計」、厚生労働省「平成28年度DPC導入の影響評価に係る調査「退院患者調査」の結果報告について」を基に当社にて算出

予定適応症

抗がん剤フルオロウラシル (5-FU) の抗腫瘍効果の増強（一般名：arfolitixorin）

特徴/
開発背景

- ✓ SP-05はレボホリナート/ホリナートの最終活性代謝物[6R]-MTHFのヘミ硫酸塩であり、フルオロウラシル代謝物とTS（チミジル酸合成酵素）の複合体形成を安定化させTS阻害作用を増強することでより高いフルオロウラシルの抗腫瘍効果が期待される葉酸製剤<Biochemical Modulation>
- ✓ 実施中のPhase III試験において、現在の標準治療FOLFOX(+BV)に対して、SP-05を含むARFOX*1(+BV)のより高い治療効果を示すことで、**新たな標準治療法として大腸がん化学療法レジメン入りを目指す**
- ✓ 大腸がん以外に5-FUが適応となる胃がんや小腸がん、膵臓がん等への適応拡大も視野

開発状況/
今後の事業化

※当社は、SP-05に関する日本の独占的開発販売権を保有

<開発状況> 日本：第III相国際共同臨床試験 実施中

- 試験名：進行結腸直腸がん患者を対象とした5-FU+オキサリプラチン+ベバシズマブ療法におけるSP-05(arfolitixorin)併用とロイコボリン併用の有効性を比較する無作為化並行群間多施設共同第III相試験（AGENT試験）
- 主要評価項目：有効性：全奏効率
（最良腫瘍縮小効果の、完全奏効及び部分奏効の割合）
- 試験実施国： 日本、米国、カナダ、欧州、オーストラリア
- 目標症例数： 440症例（権利導入元Isofolとの共同開発）
- ⇒ 2021年3月、330症例の有効性(ORR,PFS)と安全性にかかる中間解析を経て**最小目標症例数である440症例と設定**
- ⇒ **米国においてFDAよりファスト・トラック指定を受ける(Isofol社権利地域)**
- ⇒ **2022年上半期 トップライン結果公表予定、2022年下半期承認申請予定**

<事業化> 日本：導出検討中

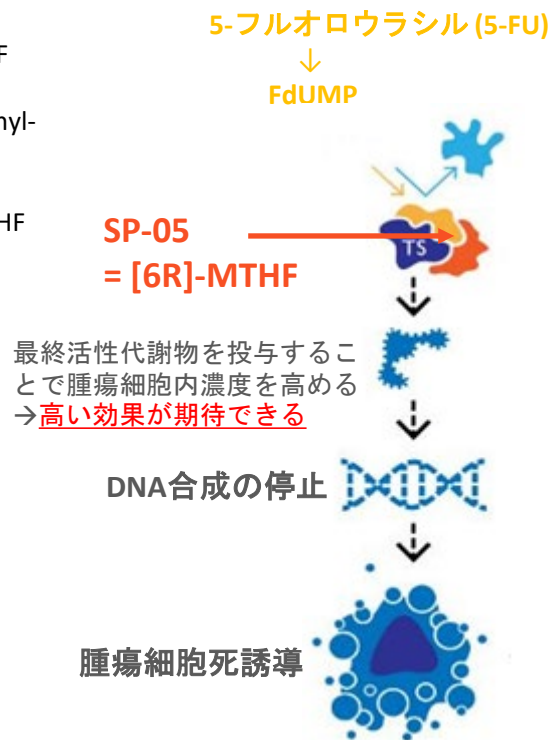
推計罹患数（日本）

大腸がん罹患数：150,000人以上/年*2

SP-05の作用機序(MOA)

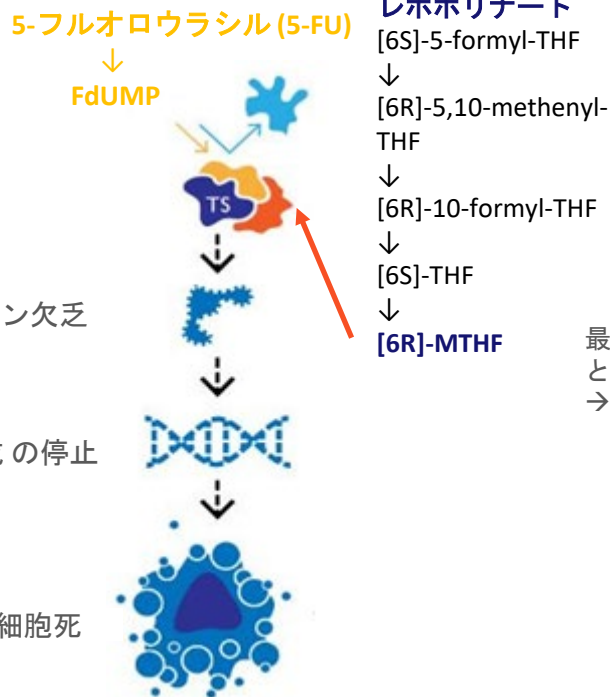
【体内での代謝プロセスは不要】

SP-05 + 5-FU投与

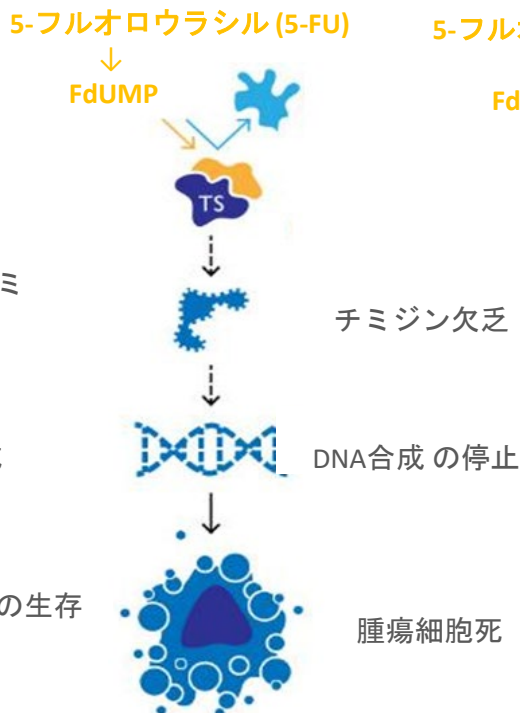


【体内で活性代謝物変換が必要】

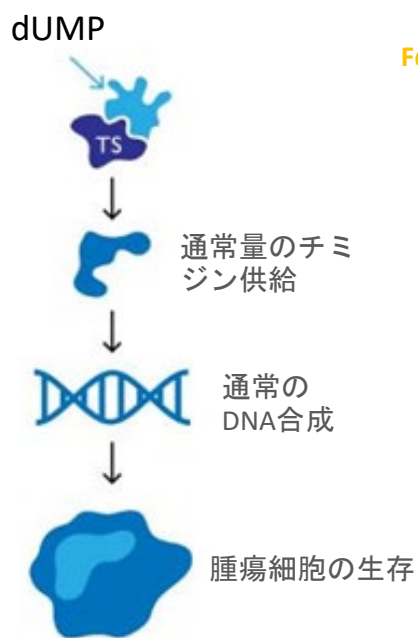
レボホリナート/ホリナート + 5-FU投与



5-FU投与



通常のDNA合成

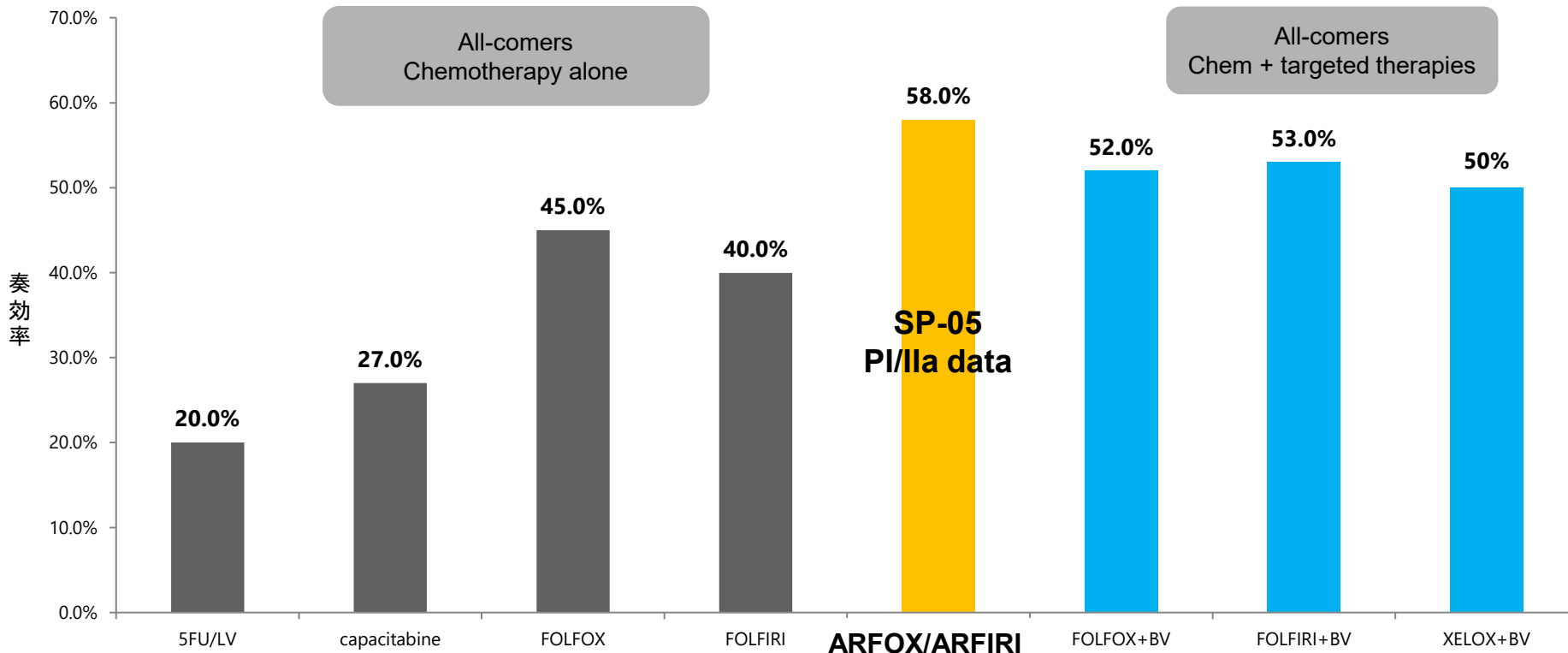


5-FU代謝物はTSを阻害し、チミジン供給を抑制することでDNA合成を阻害→ 活性型葉酸[6R]-MTHFと5-FU代謝物、TSが複合体形成し複合体からのTSの解離を遅延させ、抗腫瘍効果を増強する（Biochemical Modulation）。

SP-05はレボホリナート/ホリナートの最終活性代謝物 [6R]-MTHFのヘミ硫酸塩である。SP-05は5-FU代謝物とTSの複合体形成を安定化させTS阻害作用を増強することで5-FUの抗腫瘍効果を増強する（Biochemical Modulation）。

TS: チミジル酸合成酵素, FdUMP: フルオロデオキシウリジン-リン酸, dUMP: デオキシウリジン-リン酸

Phase I/IIa 試験結果と既存療法(メタデータ)との比較

Average ORR based on pivotal Phase III trials considered in a recent meta-analysis/review by Giuliani et al.^[1]

Abbreviations: 5-FU: 5-fluorouracil; anti-EGFR: anti-epidermal growth factor receptor; **ARFOX: infusional 5-FU, Arfolitixorin, oxaliplatin; ARFIRI: infusional 5-FU, Arfolitixorin, irinotecan; FOLFIRI: infusional 5-FU, I-leucovorin, irinotecan; FOLFOX: infusional 5-FU, I-leucovorin, oxaliplatin; BV: bevacizumab; CTX: cetuximab; ORR: overall/objective response rate; PFS: progression free survival; PMAB: panitumumab; SOC: standard of care; LV: leucovorin; mCRC: metastatic colorectal cancer**

Source: [1] Giuliani and Bonetti (2018) First-line therapies in metastatic colorectal cancer: integrating clinical benefit with the costs of drugs. International Journal of Colorectal Disease

Source: Syneos Health Market Access Report on behalf of Isofol. Report generated in 2019

- ✓ Phase I/IIa 試験におけるSP-05: (ARFOX/ARFIRI)の奏効率は、標準治療とされる大腸がん化学療法レジメンと比較して、高い結果が示された。
- ✓ 実施中のPhase III試験において、SP-05を含む(ARFOX+BV)レジメンとFOLFOX+BVレジメンとの有意差を示すことで「新たな標準治療法」として、大腸がん化学療法レジメン入りを目指す。

新規開発候補

● 核酸医薬RECQL1-siRNA プロジェクト

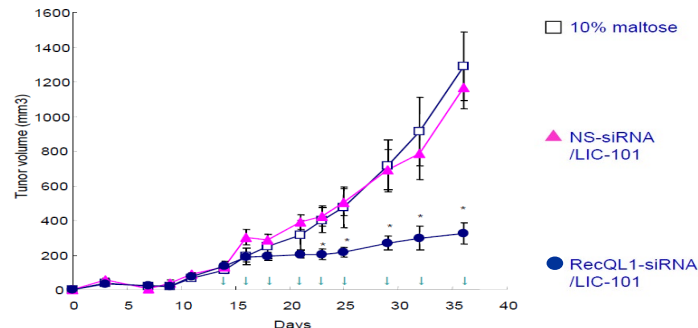
対象: 消化器がんや卵巣がん等の転移による腹膜播種治療を対象。推定国内患者数は7万人程度。腹膜播種治療の選択肢は限られており、新しい治療法が求められている。

化合物: RECQL1-siRNA/LNP製剤は、本邦で創成されたがん細胞で過剰発現が認められるDNA修復酵素ヘリカーゼファミリーRECQL1に対するsiRNAで、がん細胞内で当該酵素のみを選択的に発現抑制することで、がん細胞のDNA障害が修復されず細胞分裂M期で細胞死に至ると考えられる新しい作用機序の化合物。当該siRNA基盤特許は米国アルナイラム社から独占的使用許諾による。

開発段階: 非臨床開発段階。In vitro/in vivo各非臨床試験で抗腫瘍効果確認済。

パートナー: (株)ジーンケア研究所。当社は同社と本プロジェクト権利導入のオプション契約を締結済。

Hep3B移植モデルマウスにおけるRECQL1-siRNA/LIC101の抗腫瘍効果



● 新規RNA編集技術PPR (Pentatricopeptide Repeat) プロジェクト

目標: 当社とエディットフォース(株)の共同研究開発契約に基づき、各種がん又は希少疾病の中から、原因変異遺伝子が特定されている疾病を選出し、PPR技術によるエクソン・スキッピングやノックダウン手法などを用いて、疾病原因遺伝子を排除することによる根本治療を目指す。

PPR: PPRタンパク質は、植物で発見されたRNA塩基配列特異的に結合する核酸結合タンパク質であり、対象となる塩基配列に結合する分子を自在に設計・構築する技術となる。機能解析により、RNAリモデリング能力(RNA二次構造を解く)、RNA切断・分解からの保護、位置特異的なRNA切断、位置特異的な塩基置換(ex. C to U)等の機能を持つことが報告されている。エディットフォース(株)の技術は、PPRタンパク質とRNAとの結合メカニズムを明らかにし、それを基盤に“任意の塩基配列に結合する人工核酸結合タンパク質”を設計・構築。

開発段階: リード最適化、対象疾病選定。

4. 財務情報

連結業績 (国際会計基準IFRS)

(単位：百万円)	2018年度 実績	2019年度 実績	2020年度 実績	2021年度 予想	2022年度～ 損益に影響する事業進捗(想定)
売上収益	318	1,310	454	600	売上収益
営業費用	2,738	3,072	4,570	3,100	<ul style="list-style-type: none"> ・ SP01 販売成長 ・ SP03 販売成長 ・ SP02 当局承認、上市 ・ " 製品販売収益→開始 ・ " 権利導出収益
営業利益	△2,420	△1,762	△4,116	△2,500	<ul style="list-style-type: none"> ・ SP05 権利導出収益
当期利益	△2,422	△1,867	△4,127	△2,500	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発費 ・ SP05 第Ⅲ相試験→完了 ・ 新規開発品導入可能性
営業費用内訳					
売上原価	213	66	210		
研究開発費	1,463	1,138	1,928		
販管費	1,061	1,868	2,432		販管費、その他
(償却費:販管費内数)	153	475	496		<ul style="list-style-type: none"> ・ 事業体制構築→完了 ・ Covid-19の動向
(減損損失:販管費内数)	-	-	800		
従業員数(人)	31	52	77		

※ 2019年度売上のうち1,000百万円は契約金収入

連結財政状態 (国際会計基準IFRS)

(単位: 百万円)	2020年12月	2021年9月	増減
現預金	2,964	1,204	△ 1,760
無形資産	2,356	2,187	△ 169
その他資産	455	322	△ 133
資産合計	<u>5,775</u>	<u>3,713</u>	<u>△ 2,062</u>
負債合計	2,123	757	△ 1,366
資本金・資本剰余金	6,445	7,856	1,411
利益剰余金等	△ 2,724	△ 4,830	△ 2,106
自己株式	△ 70	△ 70	-
負債及び資本合計	<u>5,775</u>	<u>3,713</u>	<u>△ 2,062</u>

現預金

- ✓ 四半期損益、開発投資による減少
- ✓ 資金調達実施 (新株予約権行使)

無形資産

- ✓ SP-01, SP-03開発費累計額 及び SP-01, 02, 03, 05導入契約金、マイルストーン支払累計額等で構成
- ✓ SP-03日本中国、SP-01中国の無形資産は償却開始済

負債

- ✓ 普通社債償還完了 (2021年3月)

利益剰余金等

- ✓ 四半期損益による減少

5. 事業目標、成長戦略

2017 ~ 2020

2021

2022~

IPO~昨期の実績

今期計画及び目標

将来の目標

製品	SP-01 Sancuso®	<input checked="" type="checkbox"/> 中国承認 (2018) <input checked="" type="checkbox"/> 中国上市 (2019)	<input type="checkbox"/> 中国売上拡大 (診療ガイドライン収載等のマーケティング諸活動)
	SP-03 episil®	<input checked="" type="checkbox"/> 日本承認上市 (2018) <input checked="" type="checkbox"/> 韓国承認上市 (2020) <input checked="" type="checkbox"/> 中国承認上市 (2019)	<input type="checkbox"/> 中国/日本/韓国売上拡大 (診療ガイドライン収載等のマーケティング諸活動)
開発品	SP-02	<input checked="" type="checkbox"/> PTCL P2 試験終了, 試験成功 (2020)	<input checked="" type="checkbox"/> 日本承認申請 (2021/06) <input type="checkbox"/> 日本承認 (2022) <input type="checkbox"/> 権利導出 (2022-) <input type="checkbox"/> 適応拡大, 中国開発 (2022-)
	SP-04	<input checked="" type="checkbox"/> 権利導入 (2017) <input checked="" type="checkbox"/> P3 終了結果未達 (2020) <input checked="" type="checkbox"/> 権利導出 (2019)	<input checked="" type="checkbox"/> P3 結果詳細解析, 戦略検討 (2021/05)
	SP-05	<input checked="" type="checkbox"/> 日本権利導入 (2020) <input checked="" type="checkbox"/> P3 試験実施 (2020-)	<input checked="" type="checkbox"/> 中間解析 (2021/03) <input type="checkbox"/> P3 試験結果 (2022/1H) <input type="checkbox"/> 権利導出 (2022-) <input type="checkbox"/> 承認申請 (2022/2H)
新規開発品探索		<input checked="" type="checkbox"/> ゲノム編集共同研究開発開始 (2019) <input checked="" type="checkbox"/> 核酸医薬開発候補 (2020)	<input type="checkbox"/> 開発品確保
事業全般		<input checked="" type="checkbox"/> IPO東証マザーズ (2017) <input checked="" type="checkbox"/> SP-04権利導入 (2017) <input checked="" type="checkbox"/> 中国自販体制構築 (2018) <input checked="" type="checkbox"/> SP-05権利導入 (2020)	<input type="checkbox"/> 新規開発品導入 <input type="checkbox"/> 営業利益黒字化

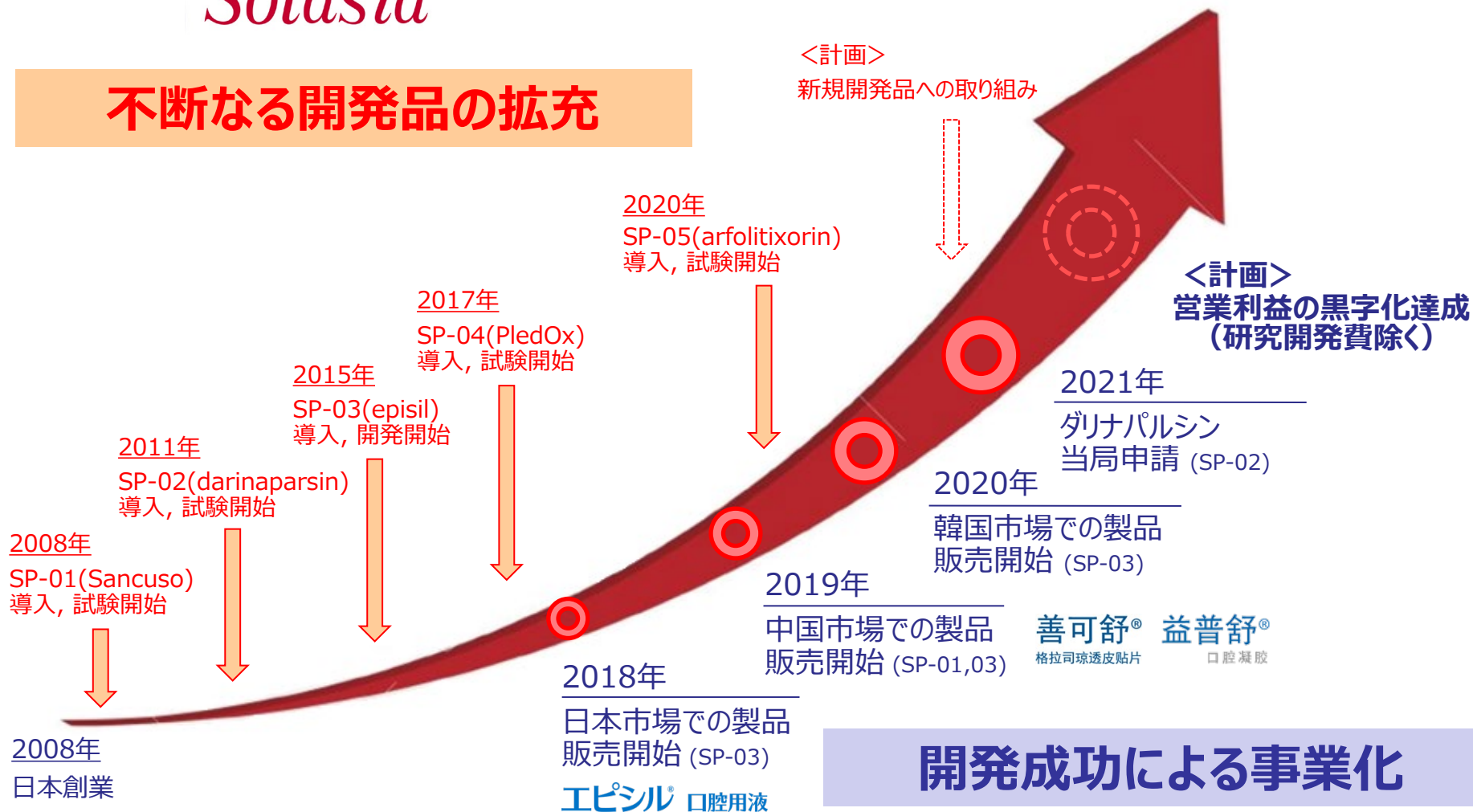
(2021年11月末日現在) 達成

計画/目標

Solasia

不断なる開発品の拡充

企業価値向上
患者、株主等ステークホルダーへの貢献



6. リスク情報

事業成長の阻害要因となり得る主要リスクとその対応策

主要なリスク	内容	顕在化の可能性/時期	顕在化した場合の影響度	対応策
医薬品研究開発の不確実性	臨床試験結果等における医薬品の有効性と安全性の不確実性	中/中長期	中	<ol style="list-style-type: none"> 1. 一つの開発品の失敗が全社企業価値に及ぼす影響を圧縮するため、製品開発品の品目数を厚くしたポートフォリオを組成する。 2. 不確実性が相対的に高い早期段階の開発品に依存することなく、後期段階の開発品も含めたポートフォリオを組成する。 3. 当社製品開発ポートフォリオは、既に2品目につき開発成功と製品化を実現し、1品目は開発完了し当局申請に到達している。
製品開発品の導出提携の不確実性	製品開発品販売権導出契約実現の不確実性、導出先の事業成果にかかる不確実性	中/中長期	中	<ol style="list-style-type: none"> 1. 開発品の収益化につき、製薬企業への権利導出のみに依存することなく、自社販売体制の整備と運営を行うことによって、収益確保を安定化させる。既に、主要市場である中国3大都市（北京市、上海市、広州市）では自社販売体制の構築を完了している。 2. 医薬品開発に際し、導出先の開発可否判断や開発実行に依存することなく（所謂“導出先企業による開発塩漬け”の状況を回避する）、当局承認に至るまでのプロセスを当社自社開発にて行いうような権利導出関係を構築する。

※上記及びそれ以外のリスクは、当社有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

Appendix

重要な契約 (1)

開発コード (製品名)	相手先	契約締結年月	契約期間	契約内容
SP-01 (Sancuso®)	Kyowa Kirin Services Limited (旧Strakan International S.A.)	2008年5月 (2008年10月, 2009 年1月, 2010年7 月, 2015年9月改 訂)	契約締結日より当社にて本製剤を 販売開始後10年が経過した日又は 特許が満了する日のどちらか遅い 日まで	① 当社に対し、中国等における本製剤の独占的開発販売権を付与する。 ② 当社は、相手先に対して契約一時金をはじめ、開発の進捗や売上高の目標達成に応じたマイルストーン及び売上高に応じた一定率のロイヤリティを支払う。
	Lee's Pharmaceutical (HK) Limited	2015年11月	契約締結日より契約地域において 本製剤を販売開始後5年を経過し た事業年度の12月31日まで	① 当社は、相手先に対し、中国（北京、上海、広州、香港、マカオを除く）における本製剤の独占的販売権を付与する。 ② 相手先は、当社に対し、契約一時金をはじめ、販売の開始等に応じたマイルストーンを支払う。
SP-02	ZIOPHARM Oncology, Inc.	2011年3月(2014 年7月, 2021,10月 改訂)	契約締結日より販売開始から10年 目、特許が満了する日又は特許以 外の規制上の保護期間が満了した 時のいずれか遅い日が終了するま で	① 相手先は、当社に対し、米国、欧州諸国を含む全世界において、本製剤の適応症を対象とするサブライセンス付与権付き独占的開発販売権を付与する。 ② 当社は、相手先に対して開発着手金をはじめ、開発の進捗や売上高の目標達成に応じたマイルストーン及び売上高に応じた一定率のロイヤリティを支払う。
	日本化薬株式会 社	2021年10月	契約締結日より全ての本件特許の 終了又は本製品の再審査期間満了 のいずれか遅い時までであり、両 者合意により一定期間更新される	① 当社は、相手先に対し、日本における本剤の研究、開発、商業化、製造に関する権利を付与する。 ② 相手先は、当社に対し、契約一時金をはじめ、開発及び販売の進捗に応じたマイルストーン（総額最大77億円）を支払う。 ③ 当社は、相手先に対して、独占的に本製品の販売を行う。

重要な契約（2）

開発コード (製品名)	相手先	契約締結年月	契約期間	契約内容
SP-03 (episil®)	Camurus AB	2015年3月(2018年8月, 2019年3月改訂)	契約締結日より各国において本製品を販売開始後10年間	<ul style="list-style-type: none"> ① 相手先は、当社に対し、日本、中国及び韓国における本製品の独占的開発販売権を付与する。 ② 当社は、相手先に対して契約一時金をはじめ、開発の進捗等に応じたマイルストーンを支払う。
	Meiji Seika ファルマ株式会社	2016年11月	初回発売日より10年経過するまで	<ul style="list-style-type: none"> ① 当社は、相手先に対し、日本における独占的販売権を付与する。 ② 相手先は、当社に対し、契約一時金をはじめ、開発の進捗や売上高の目標達成に応じたマイルストーン及び売上高に応じた一定率のロイヤリティを支払う。
	Lee's Pharmaceutical (HK) Limited	2017年2月	契約締結日より契約地域において販売日開始後10年経過するまで	<ul style="list-style-type: none"> ① 当社は、相手先に対し、中国（北京、上海、広州を除く）における本製品の独占的販売権を付与する。 ② 相手先は、当社に対し、開発の進捗や売上高の目標達成に応じたマイルストーンを支払う。
SP-04	Egetis Therapeutics AB (旧PledPharma AB)	2017年11月(2019年10月改訂)	特定の期間を定めていない	<ul style="list-style-type: none"> ① 相手先は当社に対し、日本、中国（香港、マカオを含む）、韓国、台湾における本製剤の独占的開発販売権を付与する。 ② 当社は、相手先に対して契約一時金をはじめ、開発の進捗や売上高の目標達成に応じたマイルストーン（総額最大111億円）及び売上高に応じた一定率のロイヤリティを支払う。
	マルホ株式会社	2019年12月	契約締結日より本件特許の終了又は本製品の上市後8年が経過した時のいずれか遅い時まで	<ul style="list-style-type: none"> ① 当社は、相手先に対し、日本における独占的販売権を付与する。 ② 相手先は、当社に対し、契約一時金をはじめ、今後の開発及び販売の進捗に応じたマイルストーン（総額最大190億円）を支払う。 ③ 当社は、相手先に対して、独占的に本製品の販売を行う。
SP-05	Isofol Medical AB	2020年8月	契約締結日より本件特許の終了又は第三者が日本においてジェネリックの販売承認を得る時のいずれが早い時まで	<ul style="list-style-type: none"> ① 相手先は、当社に対し、日本における本製品の独占的開発販売権を付与する。 ② 当社は、相手先に対して契約一時金をはじめ、開発の進捗と開発成功後の売上高達成に応じたマイルストーン（開発投資含めたマイルストーン総額最大104億円）を支払う。

注意事項

- ✓ 本資料には、当社に関する見通し、将来に関する計画、経営目標などが記載されています。これらの将来に対する見通しに関する記述は、将来の事象や動向に関する現時点での仮定に基づくものであり、当該仮定が必ずしも正確であるという保証はありません。様々な要因により実際の業績が本資料の記載と著しく異なる可能性があります。
- ✓ 別段の記載がない限り、本資料に記載されている財務データは日本において一般に認められている会計原則に従って表示されています。
- ✓ 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、一般の公知の情報に依拠しています。かかる情報の正確性、適切性等について当社は何らの検証も行っておらず、またこれを保証するものではありません。
- ✓ 本資料に含まれている医薬品及び医療機器（開発中のものを含む）に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。
- ✓ 本資料は、いかなる有価証券の取得の申込みの勧誘、売付けの申込み又は買付けの申込みの勧誘（以下「勧誘行為」という。）を構成するものでも、勧誘行為を行うためのものでもなく、いかなる契約、義務の根拠となり得るものでもありません。

次回の開示時期

本資料の次回更新は、2022年3月を予定しております。