




事業計画及び成長可能性に関する事項

ステラファーマ株式会社（東証グロース：4888）

2022年6月

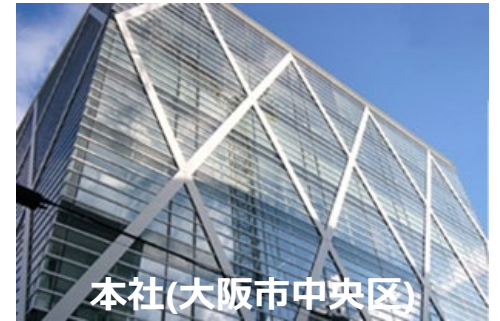
1.会社概要	P. 3
2.BNCT（ホウ素中性子捕捉療法）とは	P. 7
3.ビジネスモデル	P. 12
4.成長戦略	P. 19
5.市場規模	P. 41
6.業績推移・リスク情報	P. 46
Appendix	P. 53

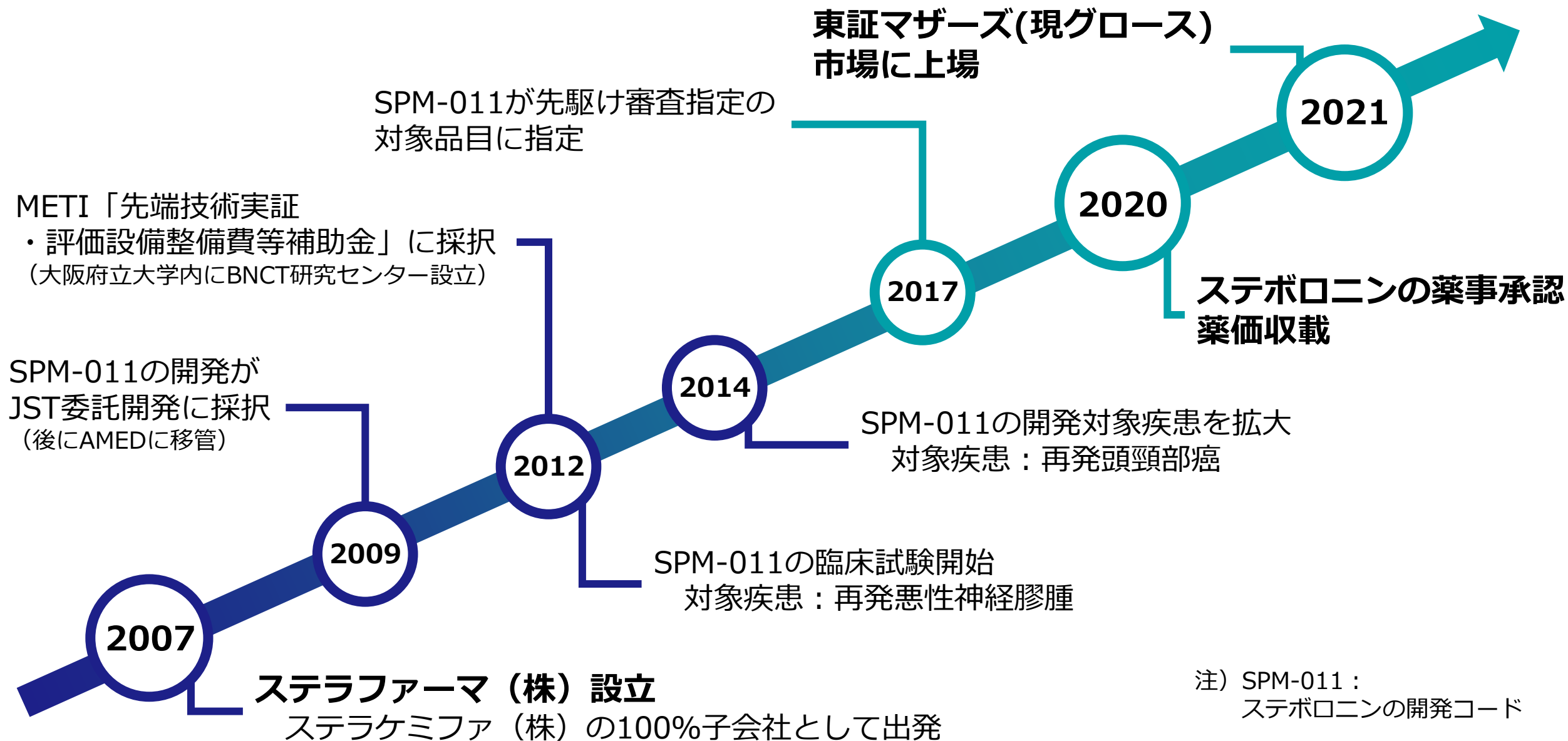


1. 会社概要



- 商号 : ステラファーマ株式会社
(STELLA PHARMA CORPORATION)
- 設立 : 2007年6月1日
- 本社 : 大阪府大阪市中央区高麗橋三丁目2番7号
- 事業内容 : BNCT (ホウ素中性子捕捉療法) に使用されるホウ素医薬品の
開発及び製造販売
- 資本金 : 3,808百万円 (2022年3月31日時点)
- 代表取締役会長 : 浅野 智之
- 代表取締役社長 : 上原 幸樹
- 事業所 : さかい創薬研究センター (大阪府堺市中区)
東京事務所 (東京都中央区)
- 許認可 : 第一種医薬品製造販売業 (大阪府)





① 世界初の「BNCT」の薬事承認

これまで世界的にBNCT領域で薬事承認を受けた事例は無く、当社は**世界初**のBNCT用ホウ素医薬品「ステボロニン®」の薬事承認を取得いたしました。

② パートナーとの連携による競争優位性


BNCTに必要な不可欠なBNCT用中性子照射装置（加速器）は、住友重機械工業株式会社を含めた複数の加速器メーカーと開発段階から連携しています。

③ グループ間での連携体制

BNCTに必要な不可欠な原料の高濃縮ホウ素は、当社の関係会社であるステラケミファ株式会社が**国内で唯一**、その濃縮技術を有しており、当社は安定した供給を受けております。

④ 高い成長可能性

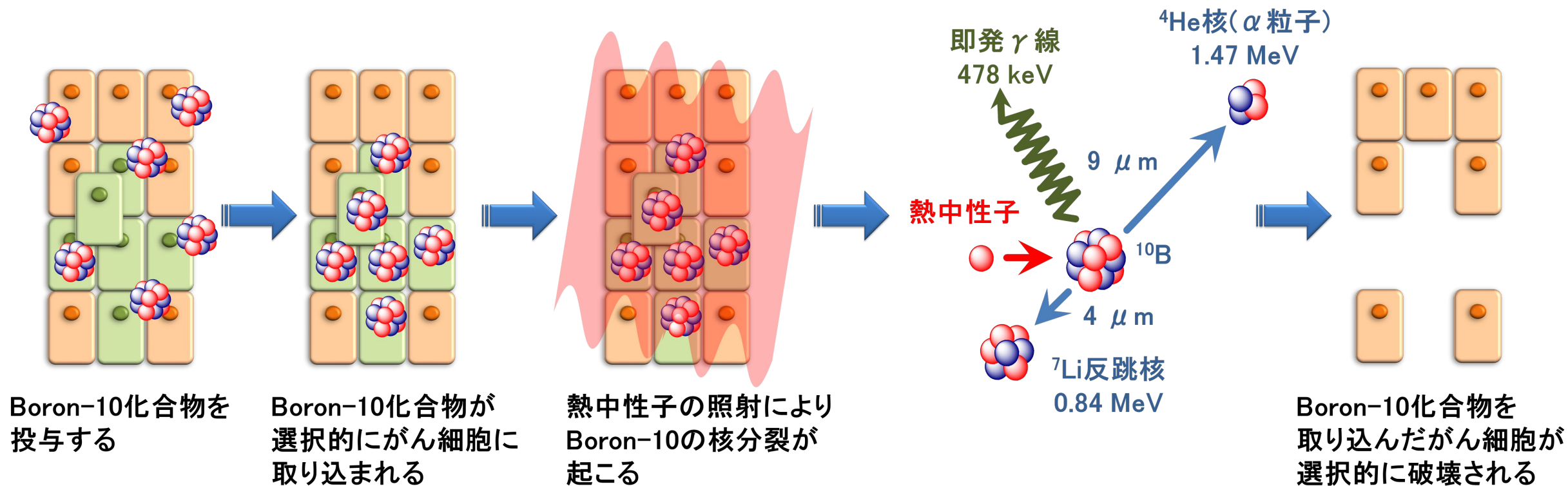
当社は現在、悪性髄膜腫等を対象とした開発を国内で進めております。BNCTは新たな治療法であり、**ブルーオーシャン**の分野です。世界からも唯一BNCT用承認薬を有する当社との提携を望む声が増えています。BNCTを全世界へ拡大していくと共に、高い成長を目指します。



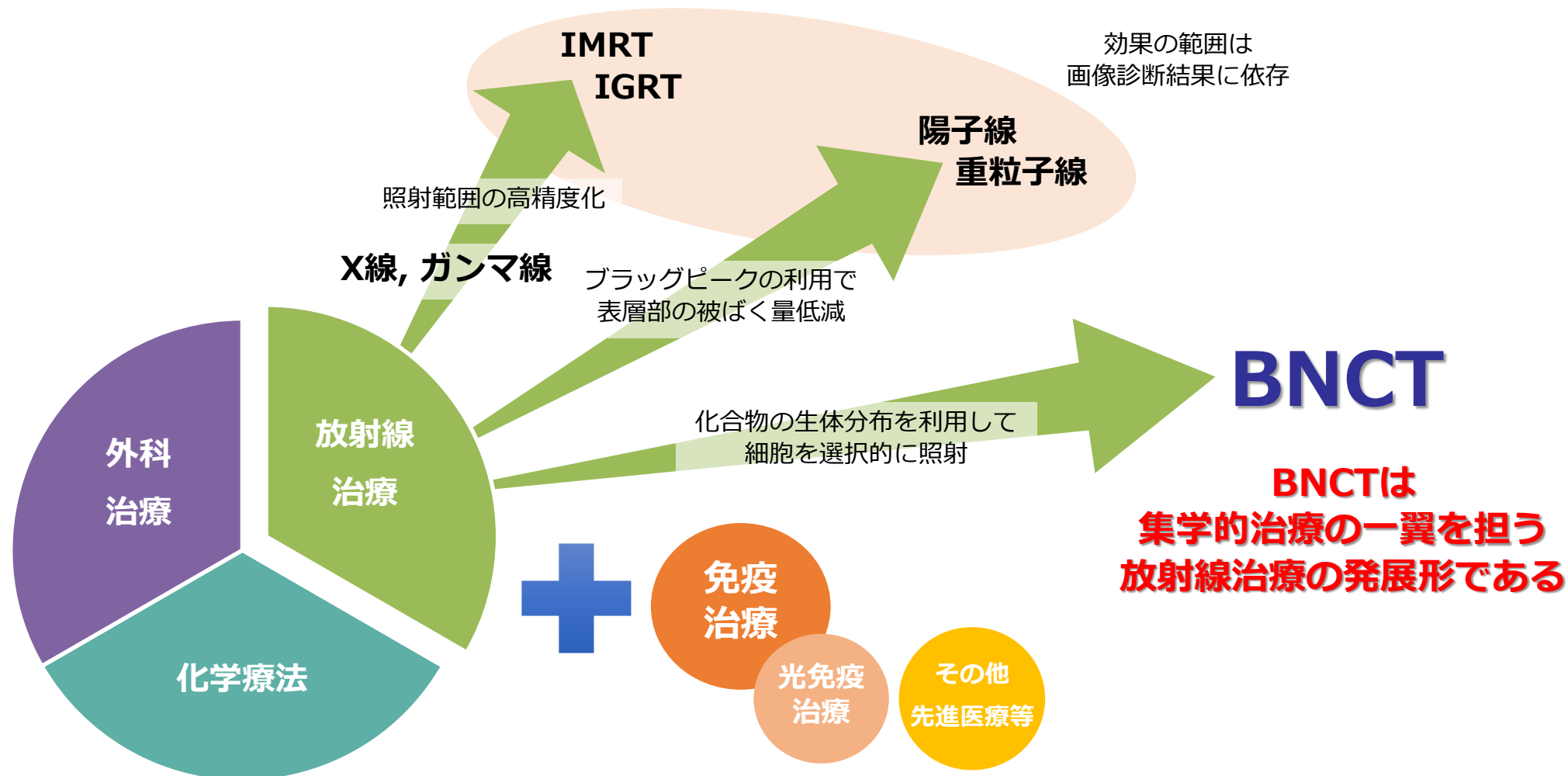
2. BNCT（ホウ素中性子捕捉療法）とは



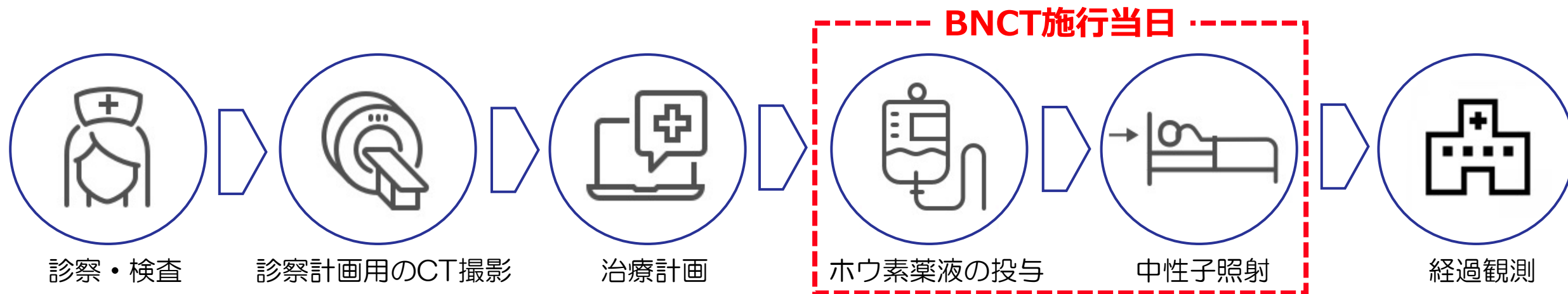
ホウ素を含む医薬品と、放射線の一種である中性子照射を組み合わせ、体へのダメージが小さく、高い治療効果が期待される新しいがん治療法



「がん」の治療には、外科療法（手術）、化学療法（抗がん剤）、放射線療法、免疫療法等、様々な治療があるが、いずれか1つをもってがんを十分に治療することは難しい
そこで、これらの治療法を組み合わせた集学的治療が行われる



治療の流れ



BNCTの特徴

ポイント1

1回・1日の照射で終了

ポイント2

身体への負担が少なく、早期の日常生活への復帰が可能

ポイント3

放射線治療歴のある方にも適用可能

有効性

- ・ 頭頸部癌領域での高い奏効率（71.4%）
- ・ がん細胞を選択的に破壊
- ・ 浸透性の高いがんにも効果が期待できる

安全性

- ・ 正常細胞のダメージが少ない

患者様のメリット

- ・ 治療期間が短い
- ・ 侵襲性が低い
- ・ 放射線治療後の再発がんにも対応

項目		X線※3	陽子線※4	重粒子線※5	BNCT
治療内容 (頭頸部癌 ※1)	照射回数	35回	32回	16回	1回
	治療期間	7週間	7週間	4週間	1日
治療効果	がん細胞殺傷力※2	1	1.1	3	3以上


※1：X線、陽子線、重粒子線は代表的な照射回数及び施術期間を示す

※2：X線、陽子線、重粒子線はRBE（生物効果比）、BNCTはCBE（化合物生物効果比）

※3：頭頸部癌学会HP http://www.jshnc.umin.ne.jp/general/section_05.html

※4：神戸陽子線センターHP https://www.kobe-pc.jp/disease_1.html

※5：QST病院HP <https://www.nirs.qst.go.jp/hospital/radiotherapy/explanation/doctor06.php>



3. ビジネスモデル

定義

次のような場合の別々に包装される医薬品、機器、生物製品。

一緒に使用することを意図し、意図する使用、適応、または効果を達成するためにその両方を必要とする。

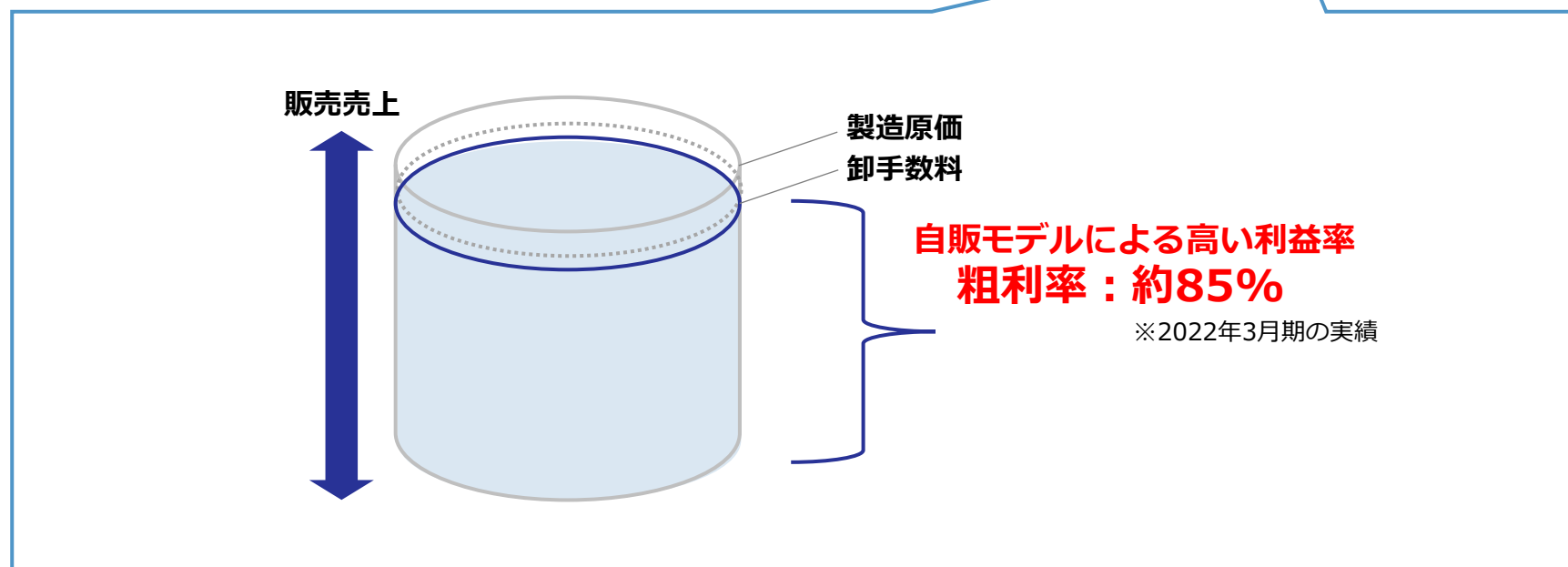
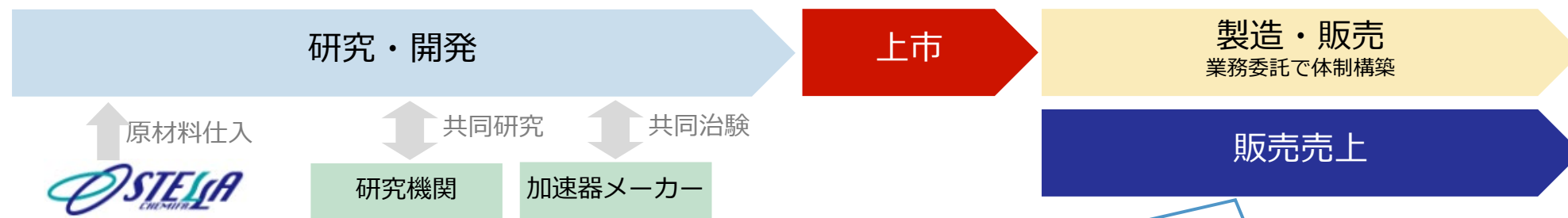
そして製品の承認に関して意図する使用、剤形、投与経路、または用量の重要な変更を反映させるため、既承認の製品表示の変更を必要とする。

**BNCT用ホウ素医薬品「ステボロニン®」とBNCT用加速器は
コンビネーションプロダクトの関係にある。**



自社開発・販売モデル

（研究・開発から上市後の製造・販売までを自社で行う）



抗悪性腫瘍剤

ステボロニン[®] 点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL (承認番号：30200AMX00438000)

- 【規制区分】 処方箋医薬品 **注意：医師等の処方箋により使用すること**
- 【一般名】 ボロファラン (10B)
- 【効能又は効果】 切除不能な局所進行または局所再発の頭頸部癌
- 【用法及び用量】 通常、成人にはボロファラン (10B) として、1時間あたり200 mg/kgの速度で2時間点滴静注する。その後、病巣部位への中性子線の照射を開始し、照射中は1時間あたり100 mg/kgの速度でボロファラン (10B) を点滴静注する。
- 【薬価】 444,215円/袋



高濃縮度
10B

>99%*

※自社基準

用時調製

不要

有効期間

36か月

貯法：2～8℃で保存

GMP
grade

保険適用となったことにより、患者様の医療費の負担が低減



ステボロニン[®] 点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL

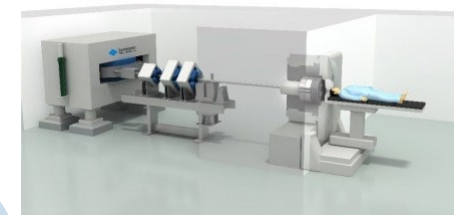
薬剤

体重60kgの患者様で
1回につき **4袋使用**
(体重により使用袋数は変動)

NeuCure[®]

技術料

238万5千円 (238,500点)
2020年6月1日に医療機器も保険適用
(総額として全ての項目に適合した場合)



※住友重機械工業株式会社
「BNCT治療システムNeuCure[®]」

BNCT治療
1回の標準的な治療費
約400万円

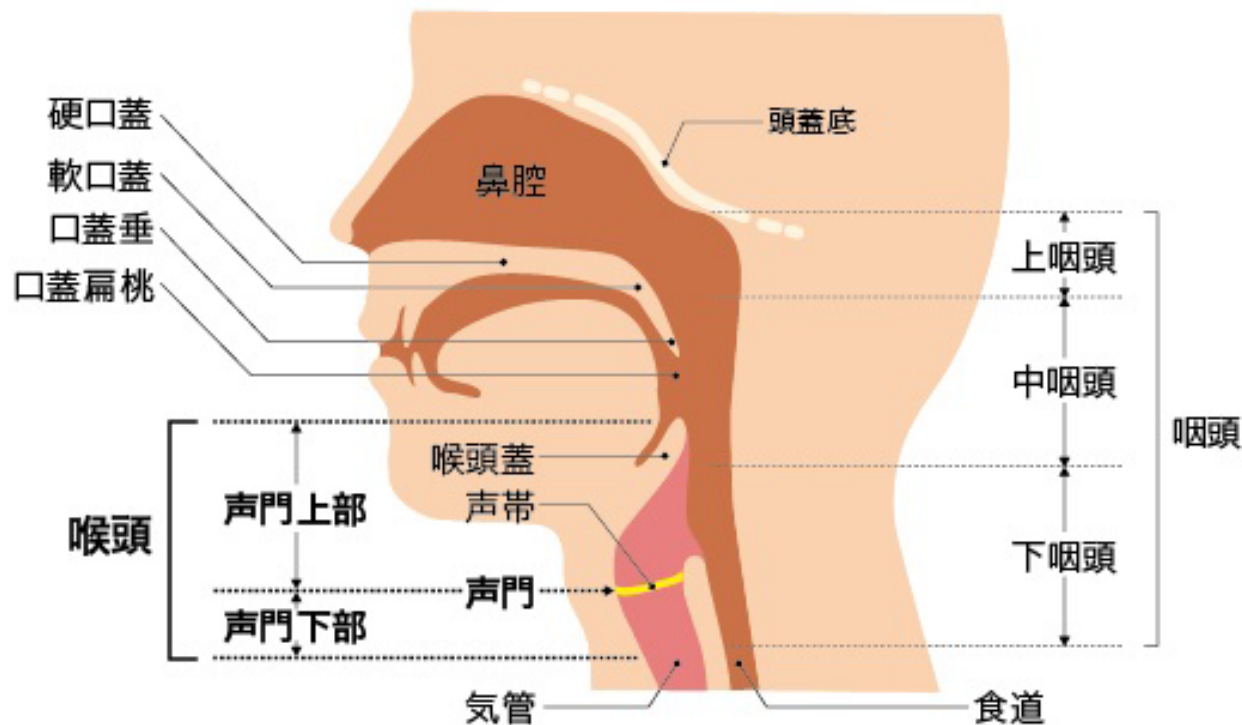
保険適用による
自己負担額
30%*

高額療養費制度による
月額負担の上限
(所得により変動)

医療費の負担額は
一定程度まで低減

※70歳未満または70歳以上で一定の所得がある方

頭頸部（とうけいぶ）とは



重要な機能を持った器官が集中している。

- 人間が生きる上で必要な機能（呼吸・食事など）
- 社会生活を送る上で重要な機能（発声、味覚、聴覚など）
- 顔面の形態の維持や表情の形成を行う機能

頭頸部癌治療におけるQOLの低下



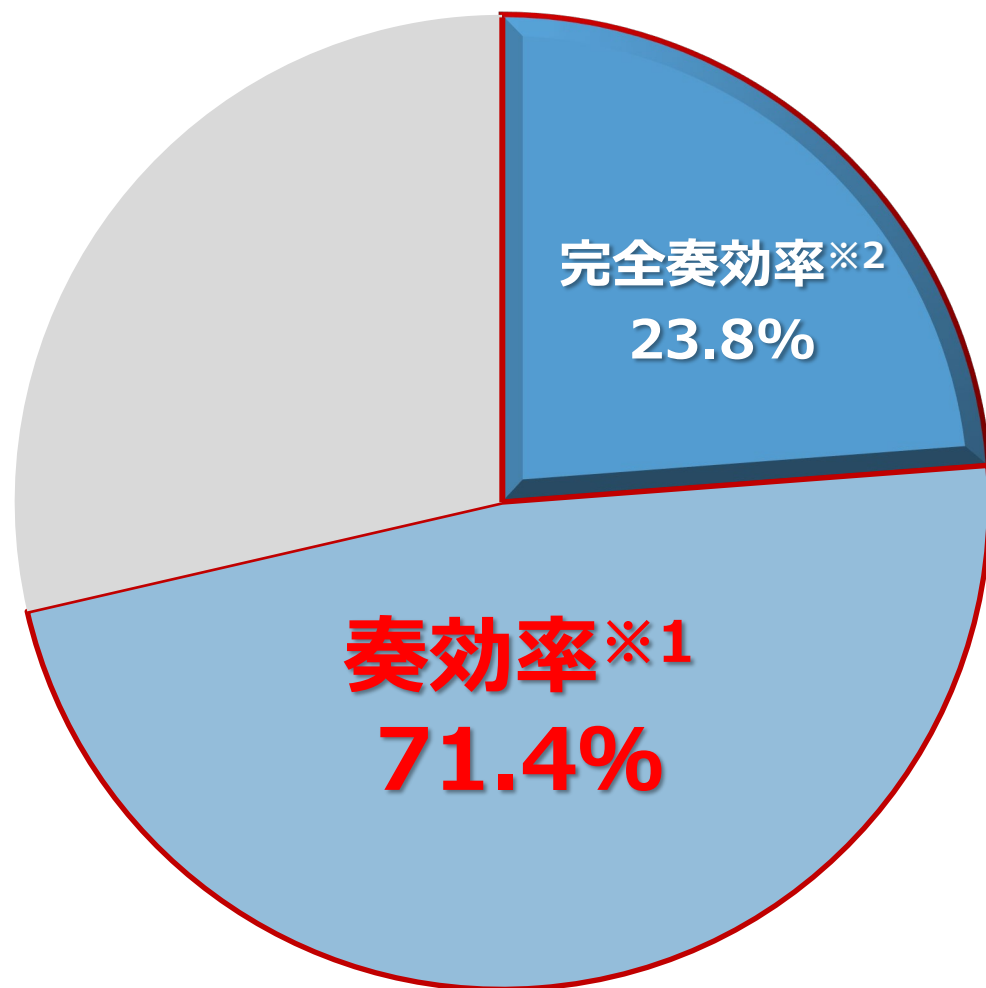
頭頸部癌には**バランスを保った治療**が必要。

- がんを治すための根治性
- 治療後の生活の質（QOL）の維持
- 整容的な配慮

出所：日本頭頸部癌学会

頭頸部癌を対象とした臨床試験(Phase.II)の結果

疾患：再発扁平上皮がん、非扁平上皮がん （出所：弊社第Ⅱ臨床試験結果より新たに作成）



BNCTは、他の治療選択肢がない頭頸部癌患者において、**高い奏効率（腫瘍縮小効果）**を示した

腫瘍縮小効果が得られることにより、発声、嚥下、咀嚼、呼吸等の機能が温存され、**QOL(生活の質)の向上が期待できる**※3

※1 奏効率：あるがん治療法を患者に用いた際、その治療を実施した後のがん細胞が縮小もしくは消滅したもの

※2 完全奏効率：完全に腫瘍が消失している

※3 出所：医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「審議結果報告書」



4. 成長戦略

BNCT治療の
普及・展開



適応疾患の
拡大

BNCTの認知度向上による普及と海外展開

BNCTを適応できる疾患を増やす

**BNCTを世の中に普及させ
新たながん治療法としての地位の確立を目指す**



BNCTの拡大に向けた2つのポイント

① BNCT治療の普及・展開

戦略1

高い奏効率、患者様のQOL維持から
治療実績を積み重ねることで
新たなモダリティとして認知度を拡大

戦略2

複数の加速器メーカーとの連携
医療機関への加速器導入サポート

戦略3

日本における頭頸部癌の承認を
海外での申請に活用

② 適応疾患の拡大

戦略1

原子炉研究で実績ある疾患を対象とし
開発の成功確度を高める

戦略2

細胞選択的な放射線治療という特殊性を活かし
Unmet Medical Needsを対象とする

戦略3

PET検査薬を合わせて開発し
適応疾患の拡大を加速

臨床試験（準備中）

フィンランド
ヘルシンキ病院



EU

2022年3月現在 設置済み

保険診療

臨床試験

関西BNCT共同医療センター



保険診療

南東北BNCT研究センター



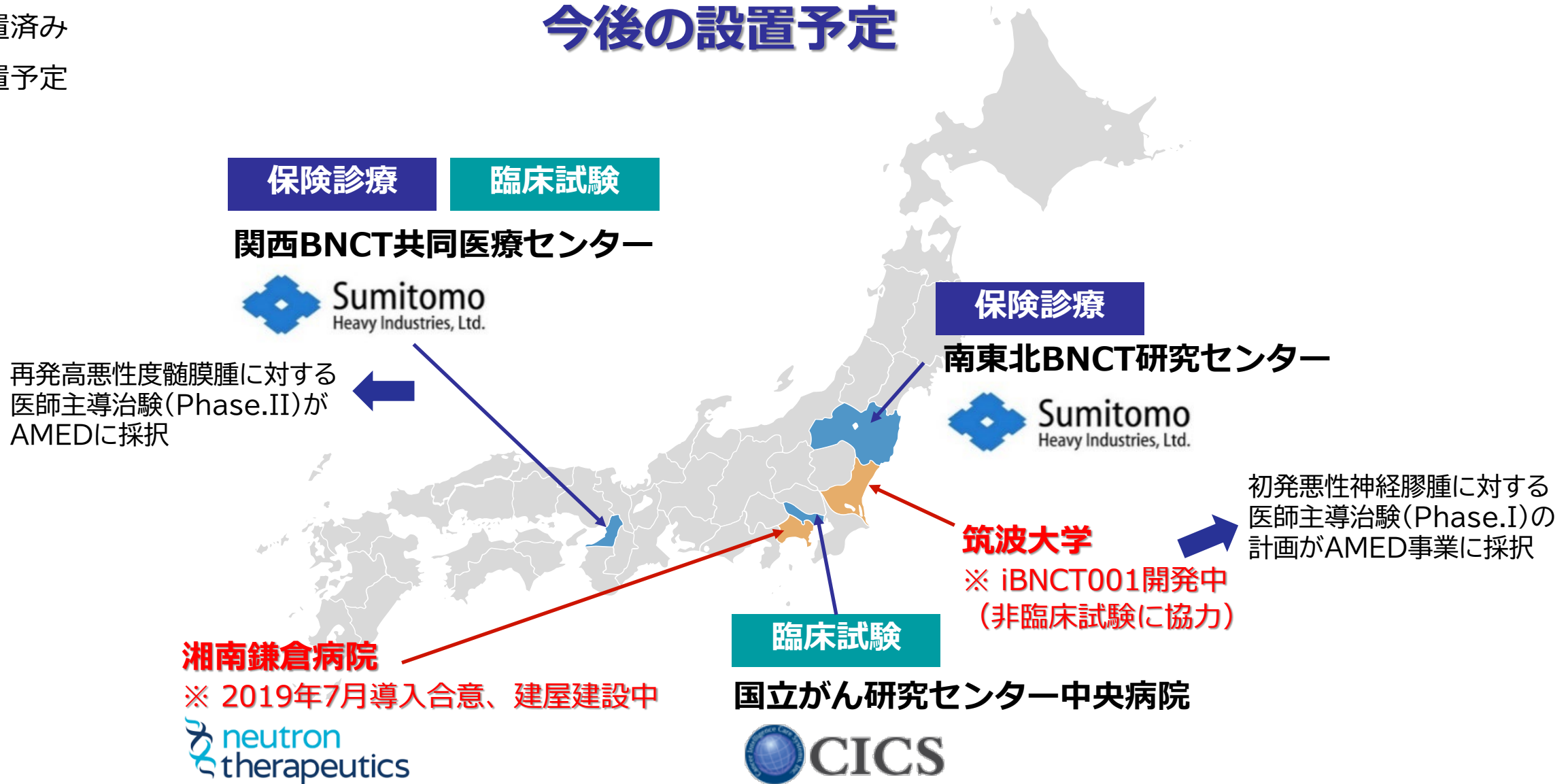
臨床試験

国立がん研究センター中央病院



- : 設置済み
- : 設置予定

今後の設置予定

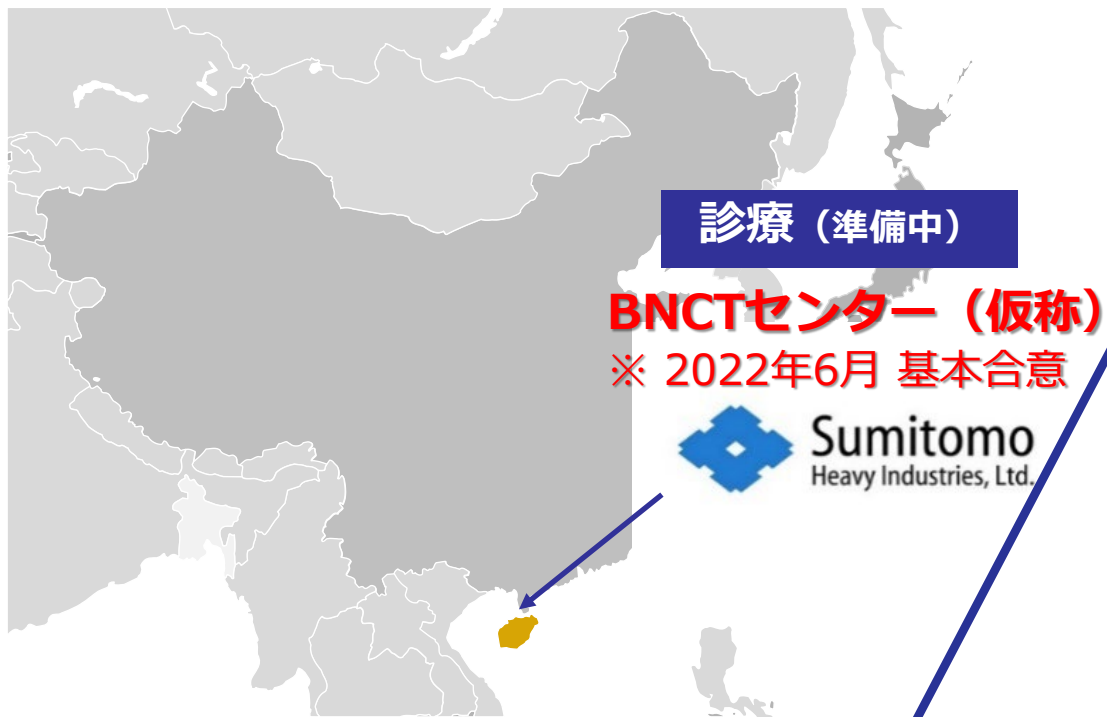


- : 設置済み
- : 設置予定

今後の設置予定

中国（海南島）

※海南島優遇制度のもと臨床試験は行わずに実治療が可能

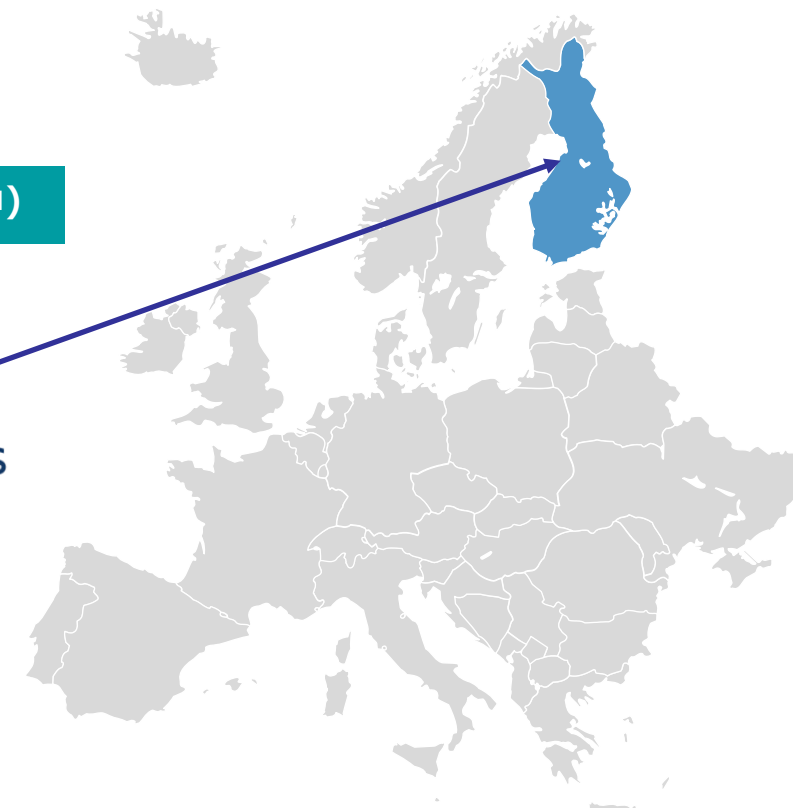


EU（フィンランド）

臨床試験（準備中）

フィンランド
ヘルシンキ病院

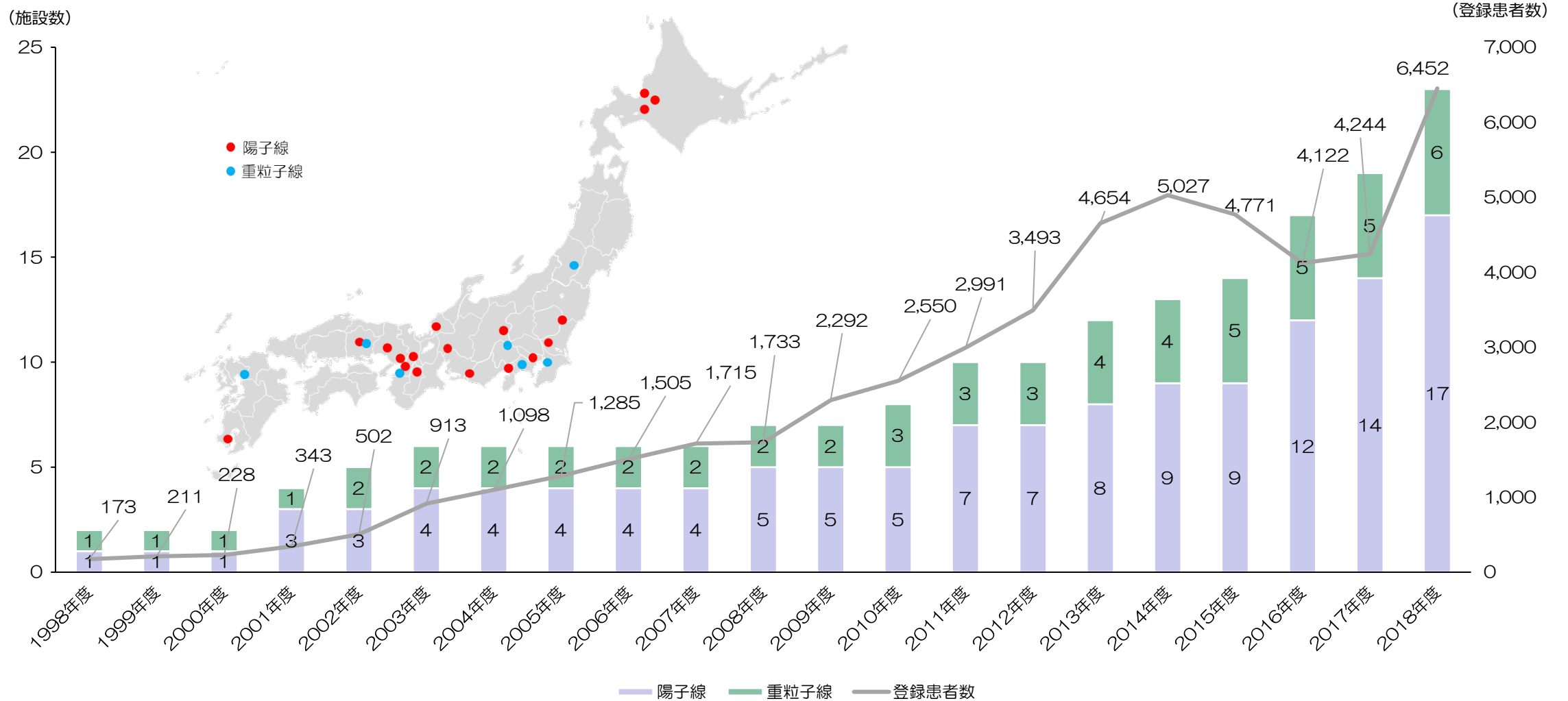
neutron therapeutics





(ご参考) 国内の粒子線施設等と登録患者数の推移

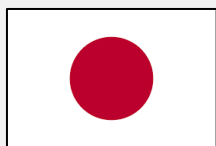
**粒子線施設数は20年間で合計23施設まで拡大
さらに2019年陽子線施設+1、2020年重粒子線施設+1⇒現在25施設**



陽子線治療装置

陽子線治療は、水素という最も軽い元素の原子核（陽子）を加速し、エネルギーを高めてできる陽子線を治療に使う

治療施設（建設中のものも含む）※1
2021年現在



18施設



98施設
(日本含む)

国内陽子線治療装置メーカー



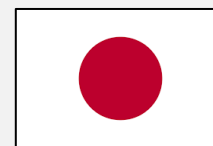
※日本で製造販売承認を取得

※1 出所：Particle Therapy Co-Operative Group Date

重粒子線治療装置

重粒子線治療は陽子（水素の原子核）よりも重い炭素イオンを使うことから、腫瘍細胞のDNAの二本鎖を切断できるなど、治療の生物学的効果が大きい

治療施設（建設中のものも含む）※2
2021年現在



7施設



11施設
(日本含む)

国内重粒子線治療装置メーカー



※2 出所：一般社団法人粒子線治療推進研究会 重粒子線治療ガイド

「日本発、世界初」の医療として BNCTを展開

EU

頭頸部癌の市場規模 : 約881億円
CAGR (年平均成長率) : 6.0%
※(2019-2026)

アジア

頭頸部癌の市場規模 : 約344億円
CAGR (年平均成長率) : 8.6%
※(2019-2026)

アメリカ

頭頸部癌の市場規模 : 約1,245億円
CAGR (年平均成長率) : 4.4%
※(2019-2026)



フィンランド ヘルシンキ大学病院

1. Neutron Therapeutics（以下、NT）社の加速器設置完了

- 2023年に臨床試験P I 開始予定
- 疾患は日本の臨床試験データが一部利用可能な頭頸部癌
- NTと当社とは、将来共同で臨床試験を行うことMOUで合意
- 2022年1月、医療機器のソフトウェア開発大手 Cosylabo社とNT社が戦略業務提携

2. ヘルシンキ大学病院 2020年世界の優れた病院トップ50の25位 ※

- 原子炉（2012年まで稼働）でのBNCT臨床研究を実施（約250例）

※ Newsweek「THE WORLD'S BEST Hospitals 2020」



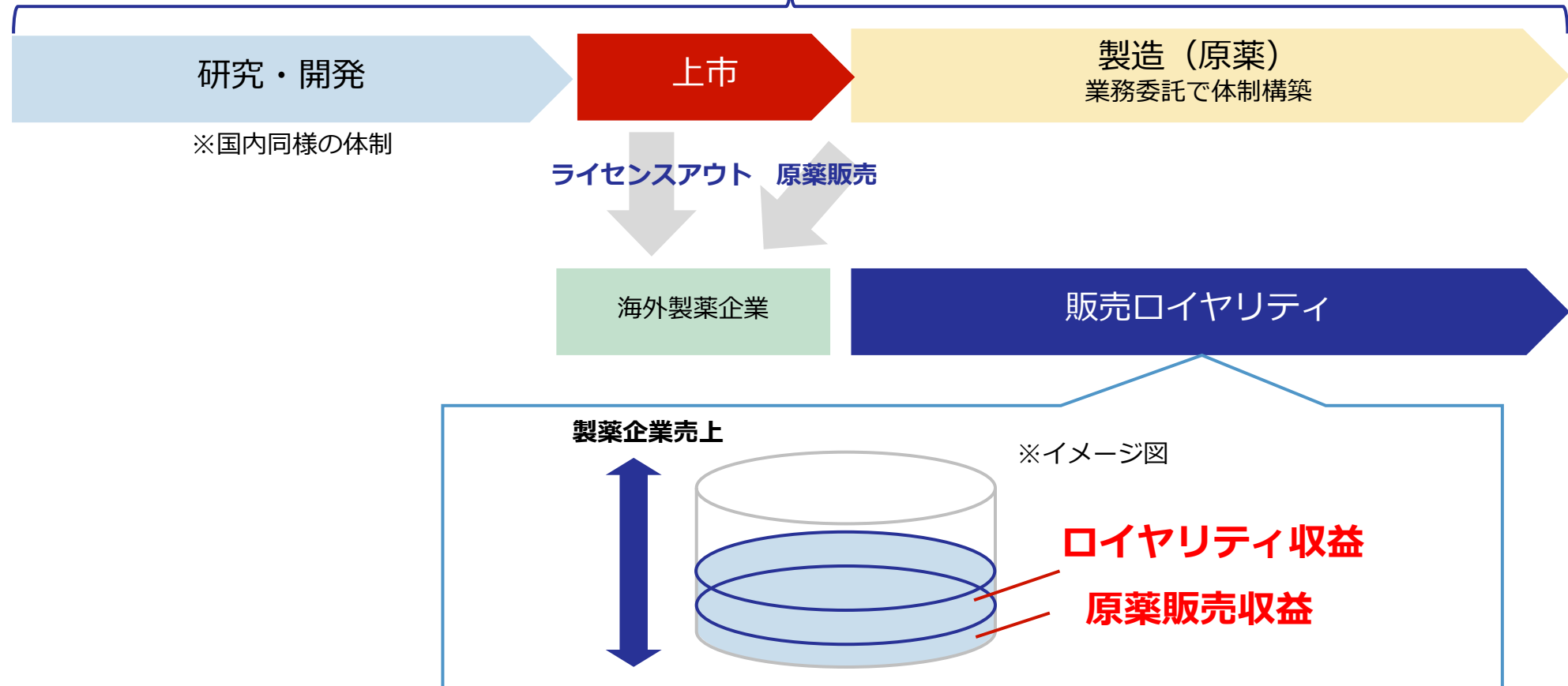
NTはP I 終了後、CE markを取得予定

⇒EU加盟国へ加速器が販売可能に

⇒加速器が導入された病院に弊社製剤を供給する

自社開発・販売ロイヤリティモデル (計画)

(海外製薬企業へライセンスアウトを想定)



アジアでのポテンシャルマーケット

中国における頭頸部がん患者数

年間

14万人

出所：World Health Organization (2021年発表データ)

中国・海南島医療特区に
BNCTが導入されることが決定

アジア主要市場展開の最初のターゲットは台湾に定めていたが一足飛びに中国本土を見据えた展開が可能となったため、アジア戦略は海南島を足掛かりに展開

博鳌（ボアオ）楽城国際医療旅遊先行区は、医療ツーリズム促進のため、2013年2月に国务院の設置認可を受けた規制緩和特別区域

9大優遇制度が設けられており、中国国内の未承認品であっても他国で既に承認を取得し、かつ臨床的に緊急に必要とされる医薬品・医療機器については、指定医療機関での使用を前提に輸入許可が認められる



**臨床試験を行わず
実臨床での治療が可能**

**2025年度から
薬剤を販売（輸出）開始予定**

(ご参考) 海南省概況 (数値は2021年)

概要	中国最南端に位置し、海南島と付属の島嶼からなる。 中国で最も陸面積が小さく、最も管轄海域面積が広い省。 (面積: 35.4 万 km ² 、人口: 974.38 万人)
主要な産業	観光業、海運業、農業等
GDP	6,475.20億元
輸出入総額	1,476.78 億元



BNCTセンター (仮称) 外観イメージ



BNCTセンターで収集されるReal World Data (RWD*)は、関連規定に沿った管理、研究、評価等を行うことで、中国本土での承認申請 (NMPA**承認申請) に活用可能



当該データを利用したリアルワールド研究により、NMPA申請で必要な臨床試験の期間および医薬品・医療機器の上市審査期間を短縮



中国本土へのBNCT展開を加速

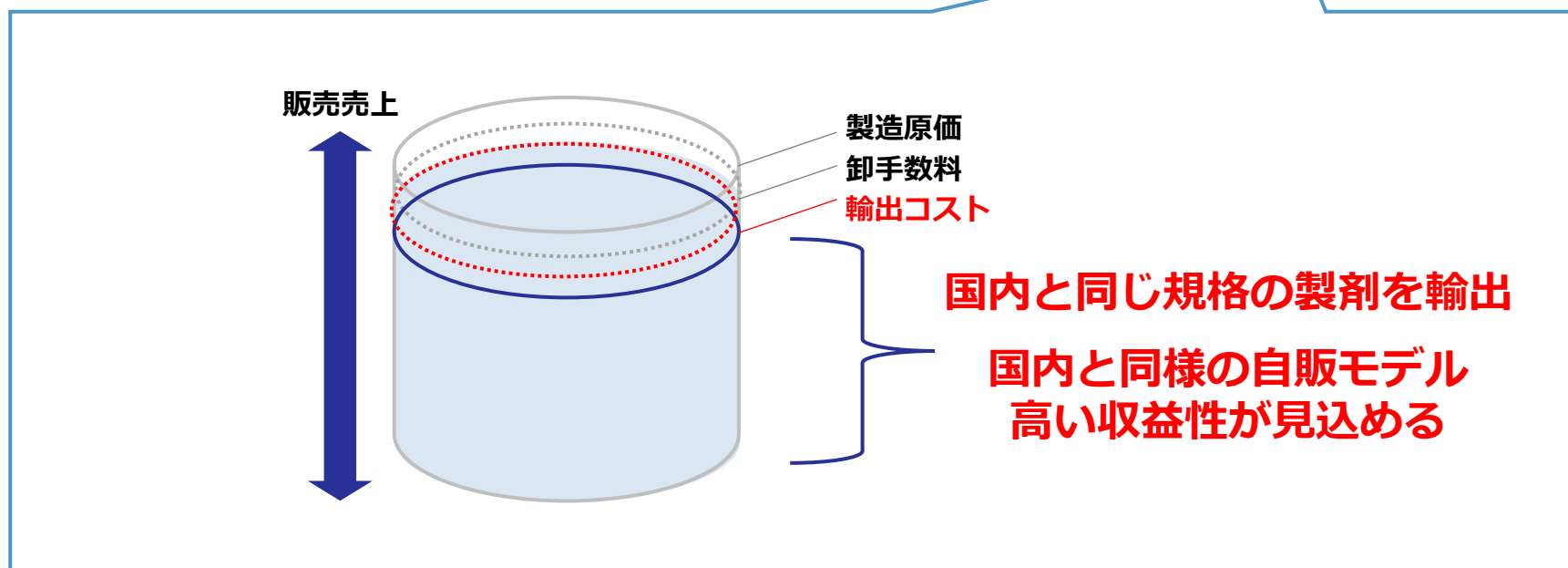
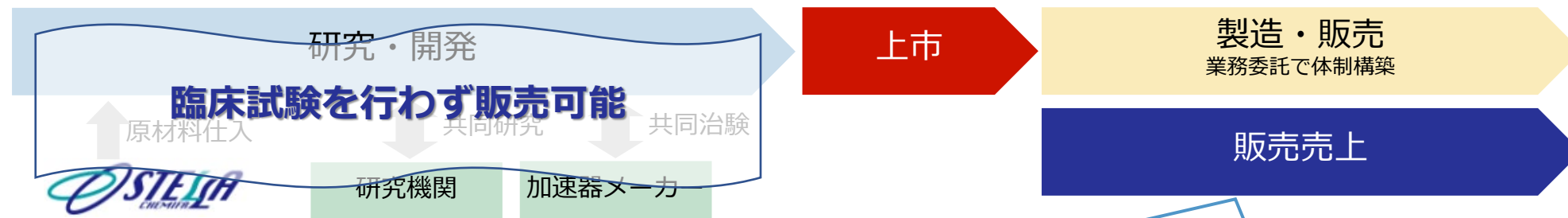


RWD* 日常に収集された患者の健康状況および診療、保健に関する各種data。適用性を満たしたRWDに限りReal World Evidence(RWE)になり、RWEの研究、評価を行う活動がリアルワールド研究と呼ばれる。

NMPA** National Medical Products Administration

自社販売（輸出）モデル（予定）

（製造・販売・輸出までを自社で行う）



2022年5月26日付の適時開示にてご報告している通り、PMDAとの一連の協議の結果から、国内第II相試験の結果及びレトロスペクティブ調査の結果を用いて、承認申請を行う前提であった再発悪性神経膠腫の開発計画を変更することを決定いたしました。

開発ステージ **国内第 II 相臨床試験 (JG002試験) 終了** (2020年7月 治験終了届 提出)

対象疾患 **再発悪性神経膠腫**

◆ 国内患者数 最も悪性度の高い膠芽腫で約2,217名。

※ 出所：国立がん研究センター 希少がんセンター 脳腫瘍 主な原発性脳腫瘍と悪性度 2020年9月10日更新

試験デザイン BNCT実施群のみの**単群試験**

主要評価項目 再発膠芽腫患者**24例のBNCT実施1年後における生存割合 (1年生存率)**

結果 主要評価項目である **1年生存率 79.2%** (試験開始前の設定期待値 60%)

国内第 II 相臨床試験（JG002試験）の結果に対する論点

- ◆ 主要評価項目である**生存率**は、年齢やがんの組織型（grade）、術前の全身状態等**患者背景因子の影響を受ける可能性**がある。
 - ➔ JG002試験は、比較対照群が設定されていないため、有効性を説明するのに限界がある。
 - ➔ JG002試験の患者様と背景因子を揃えた患者様の生存状況に関するデータを遡って収集し（レトロスペクティブ調査）統計解析によるデータを比較することを検討。

レトロスペクティブ調査の実施可否検討結果

- ◆ JG002試験の患者様と**背景因子を揃えられる患者様の割合は限定的**と推測された。
 - ➔ JG002試験と比較するためには**相当数の患者様データを収集しなければならず**、実現が難しい。
 - ➔ レトロスペクティブ調査の患者様データ数を下げるためには、**JG002試験の追加実施**が必要と判断。

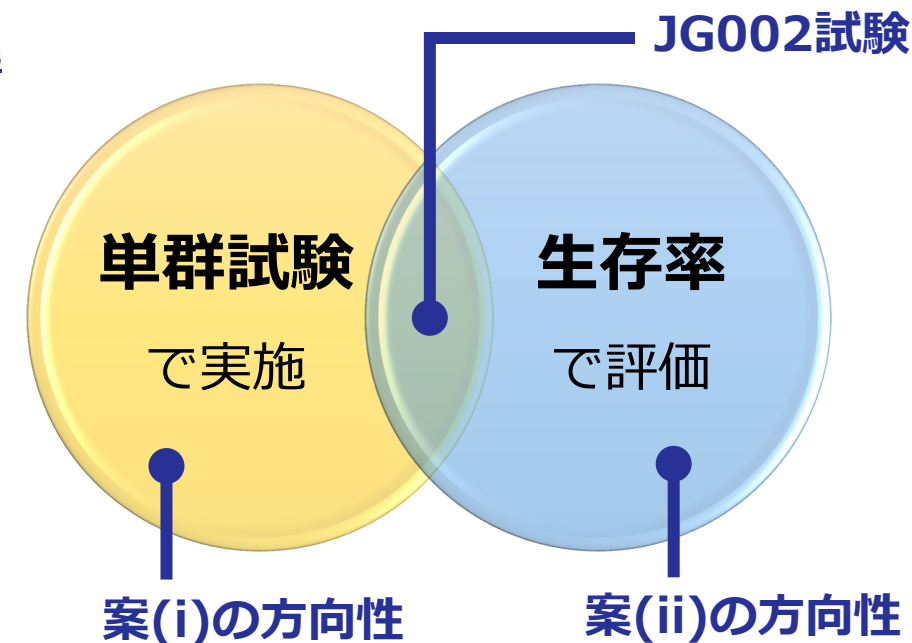
当社は、再発悪性神経膠腫に対してBNCTの一定の有効性は示されたと考えております。JG002試験において承認申請のネックとなっている要素を排除するため、新たな試験の実施を視野に入れ関係者とも協議した上で、引き続き開発計画の立案に取り組んでまいります。

国内第 II 相臨床試験（JG002試験）結果における課題

- ◆ 比較対照群を設定せず、BNCTの**単群試験で実施**したこと

かつ

- ◆ 患者背景因子の影響を受ける可能性がある**生存率**を**主要評価項目**に設定したこと



新たな試験計画立案にあたっての方向性（現時点の考え方）

- (i) BNCT施行の**単群試験のみ**で実施

- ➔ 生存率に代わる評価指標を設定する必要がある。 ➔ **画像評価の可能性**を検討
- ➔ 再発膠芽腫に対して**画像評価で有効性を評価する特定臨床研究**に協力

- (ii) 時点生存率を含む**生存評価**を指標として実施

- ➔ **ランダム化比較試験**で実施する必要がある。 ➔ 日本で再発患者を対象とした試験の実施は困難
- ➔ **初発を含む膠芽腫患者を対象**とした試験を設計
(海外を含む国際共同治験も想定)

開発ステージ

国内第 II 相臨床試験実施中 (医師主導治験により実施)

- ◆ 2021年8月に被験者登録を完了。
- ◆ 本試験はAMED事業に採択されている (実施医療機関の大阪医科大学として)。

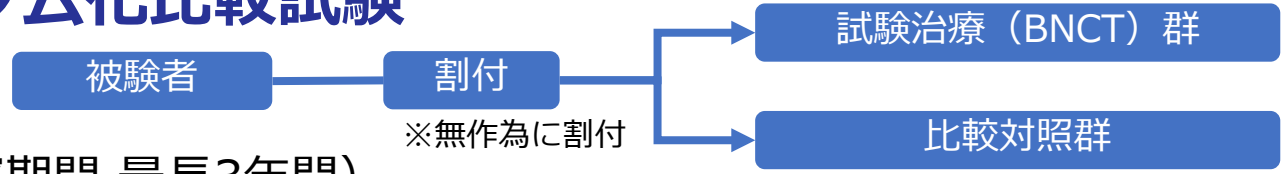
対象疾患

再発高悪性度髄膜腫 (WHO grade 2, 3)

- ◆ 国内患者数 Grade 2の髄膜腫が約258名、Grade 3が約60名。
※ 出所：国立がん研究センター 希少がんセンター 脳腫瘍 主な原発性脳腫瘍と悪性度 2020年9月10日更新

試験デザイン

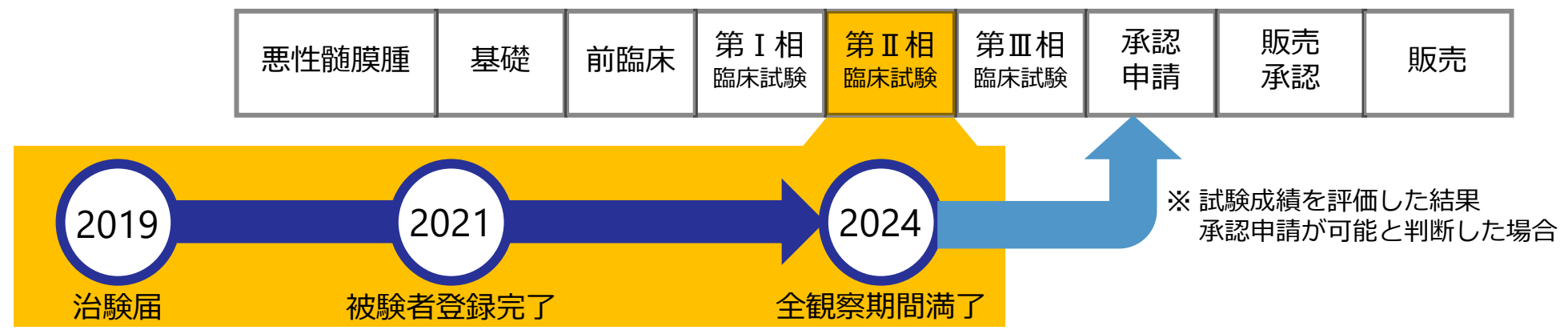
比較対照群を設定した**ランダム化比較試験**



主要評価項目

無増悪生存期間 (観察期間 最長3年間)

開発スケジュール



開発ステージ

国内第Ⅰ相臨床試験（JAM001試験）実施中

- ◆ 国立がん研究センター中央病院に設置された（株）CICS製加速器システムを用いた試験。

対象疾患

悪性黒色腫と血管肉腫

- ◆ 国内患者数 悪性黒色腫 1,500～2,000人。 ※1
血管肉腫 脈管肉腫が約260～390人、頭部血管肉腫が約160人。 ※2

※1 出所：公益社団法人 日本皮膚科学会

※2 出所：Colwell B: Angiosarcoma (<http://www.parkhurstexchange.com/oncology/2012-03-09>) . 2012.

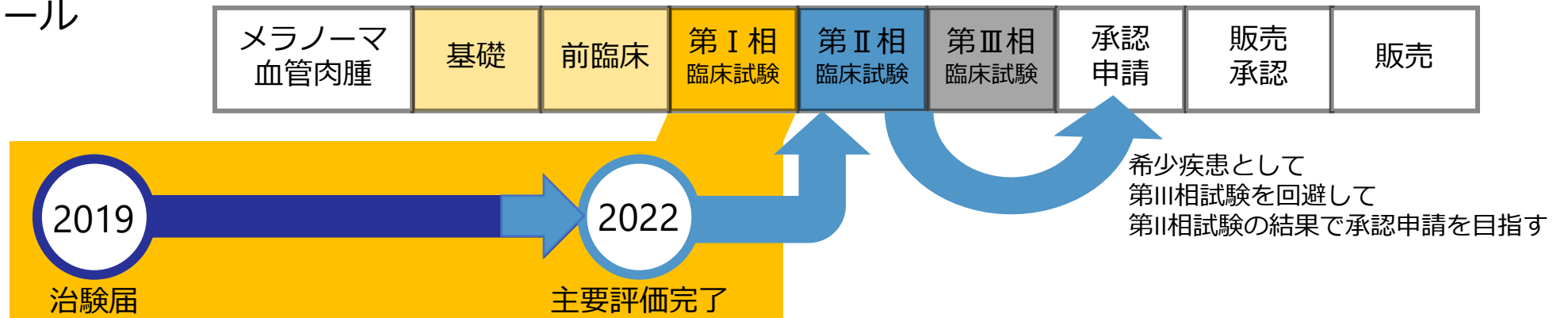
試験デザイン

安全性を評価指標とした**線量漸増試験**

主要評価項目

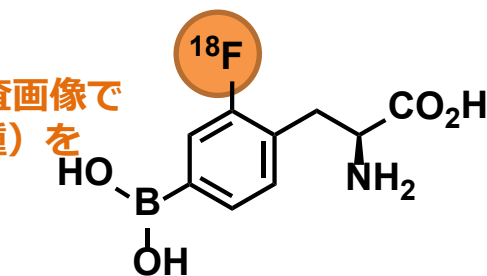
用量制限毒性（DLT）の発現頻度から各線量レベルの**安全性を評価**（観察期間 90日間）

想定開発スケジュール

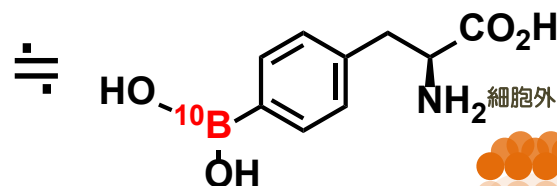


^{18}F BPA

ボロファン (^{10}B) にPET検査画像で黒く染まるマーカー (PET核種) を結合させる



ボロファン (^{10}B)



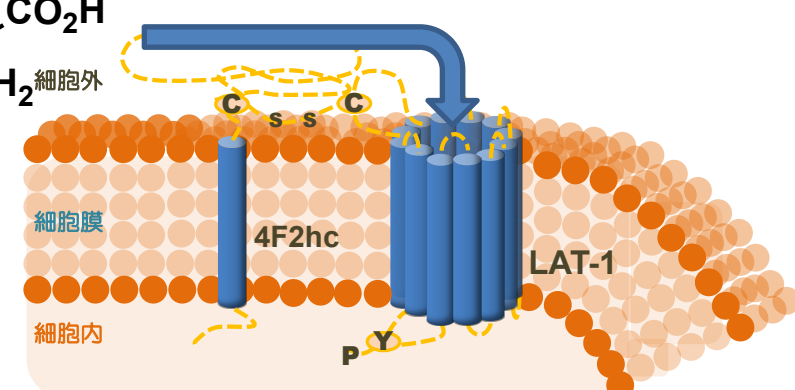
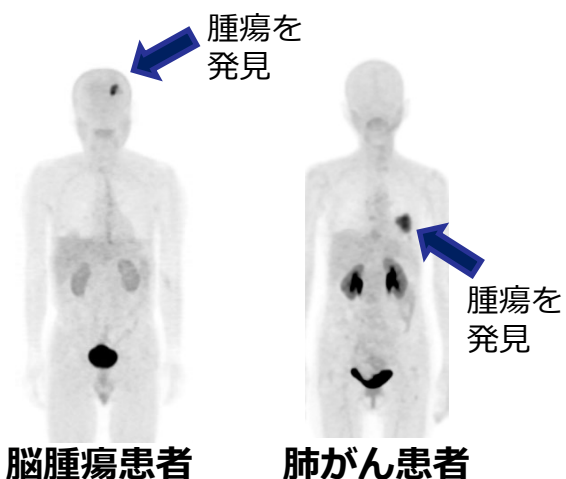
PET検査

健康成人



何も反応しない

がん患者

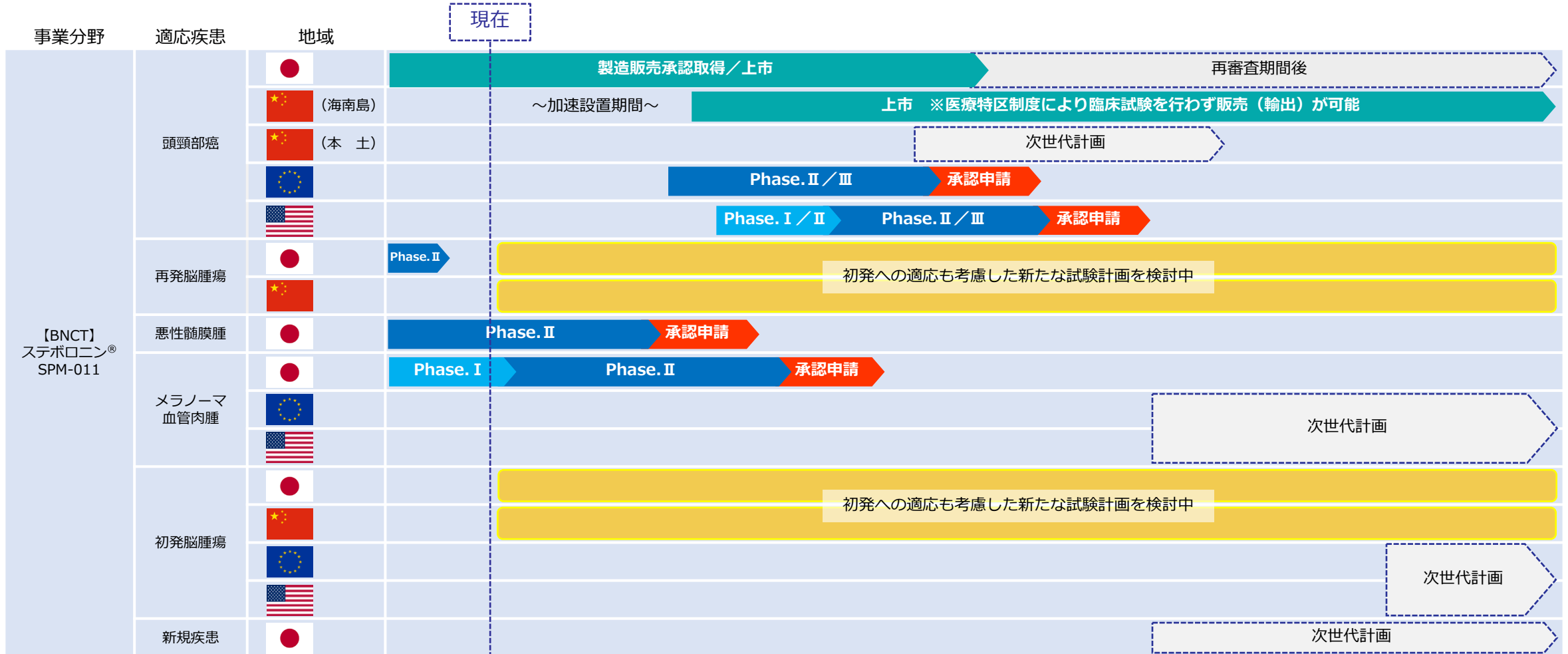


がん細胞は分裂・増殖の材料となるフェニルアラニンやチロシンといったアミノ酸を取り込む仕組み (LAT-1) が発達している。ステボロニンの有効成分 (ボロファン (^{10}B)) はフェニルアラニン、チロシンと非常によく似た形をしており、LAT-1を介してがん細胞に取り込まれる。


**ボロファン (^{10}B) を用いたBNCTの
適応拡大が効率的に進むことが期待できる**

**ボロファン (^{10}B) の分布状況を可視化し
治療前にBNCTの効果を予測することが可能**

医薬品の研究開発は長期に亘ることから、15ヶ年の長期経営構想に基づいて、開発パイプライン計画を策定
※中国・海南島への導入決定により、アジア展開の中心戦略を台湾から中国に修正



注：全体としての予定を示しており、本グラフの通りに進捗することを保証するものではありません。



5. 市場規模

がん治療関連市場の特徴

市場は拡大傾向を続ける

人口の高齢化を主な要因として、がん患者の数は増加し続けている。
高齢化は日本だけでなく世界的な傾向。
これまで高齢化が進行してきた先進地域はもとより、開発途上地域においても、高齢化が急速に進展すると見込まれている

新たな治療法を受け入れる素地

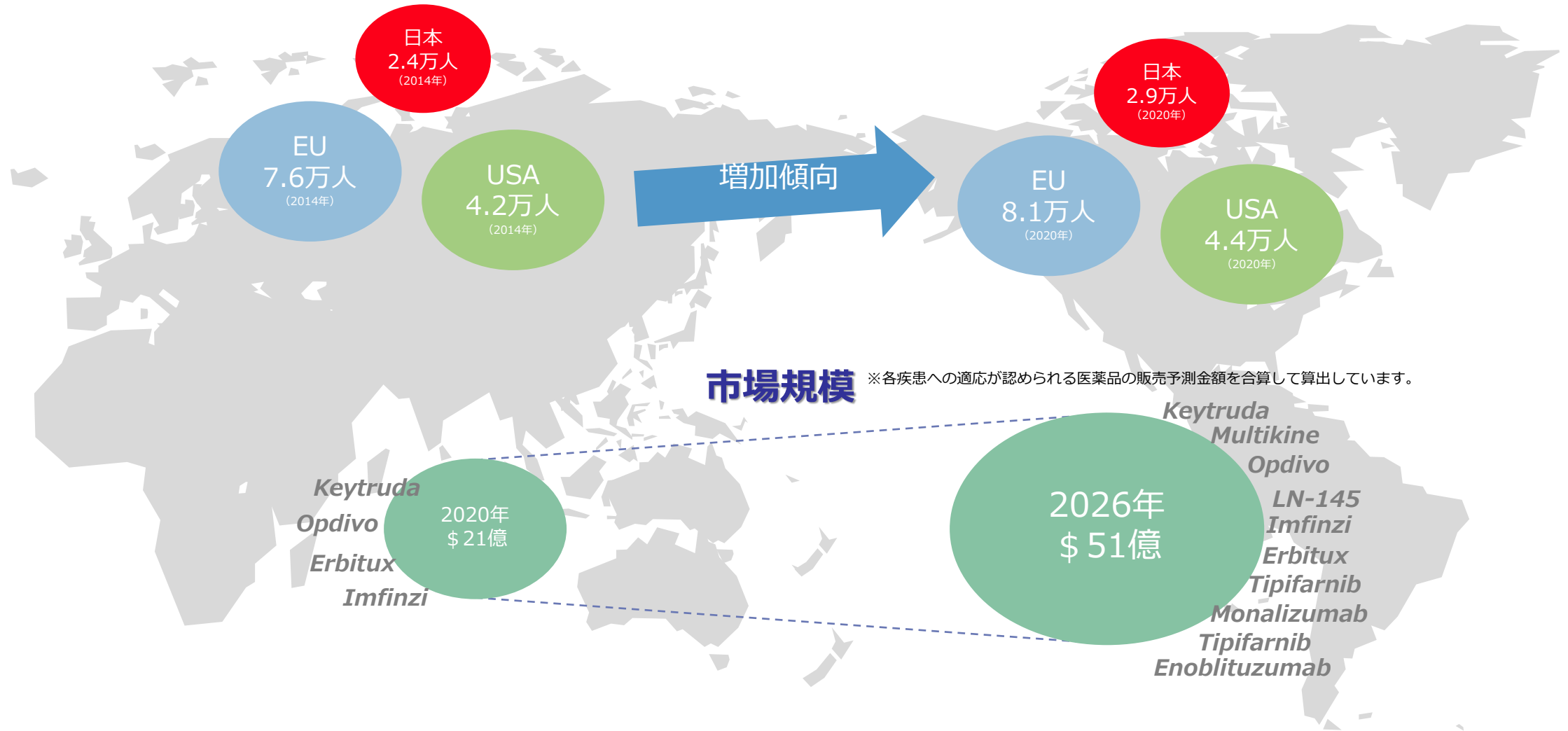
がんの治療は、いくつかの治療法を組み合わせた集学的治療が一般的。
がんは未だ克服された病気ではなく、画期的な治療法が登場すると、それを組み込み、治療成績を向上させようとする。

がん治療関連市場は、新たな治療モダリティを受け入れて市場規模を拡大する性質を有している。

直近の実例：がん免疫療法薬の登場

肺がん治療薬市場におけるオプジーボの非小細胞肺がんへの適応拡大（2015年12月）のインパクト
2015年まで肺がん治療薬市場は毎年約30億円～150億円伸びていたが、2016年は前年から900億円近く伸び、市場規模は2072億円と2000億円を突破した。

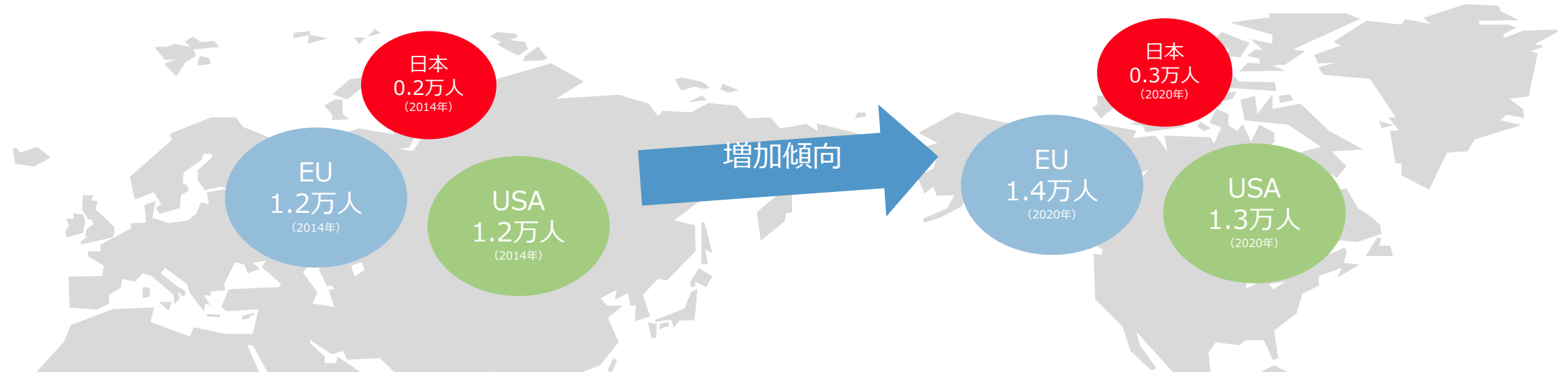
患者数 ※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。
この内「切除不能な局所進行または局所再発の頭頸部癌」がBNCT適応となります。



出所：国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」（全国がん登録）及び平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)(一般)日本人におけるがんの原因・寄与度：最新推計と将来予測 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」、Evaluate Pharma、台湾衛生福利部国民健康署ホームページ「癌症登記報告」<https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=269&pid=13498>

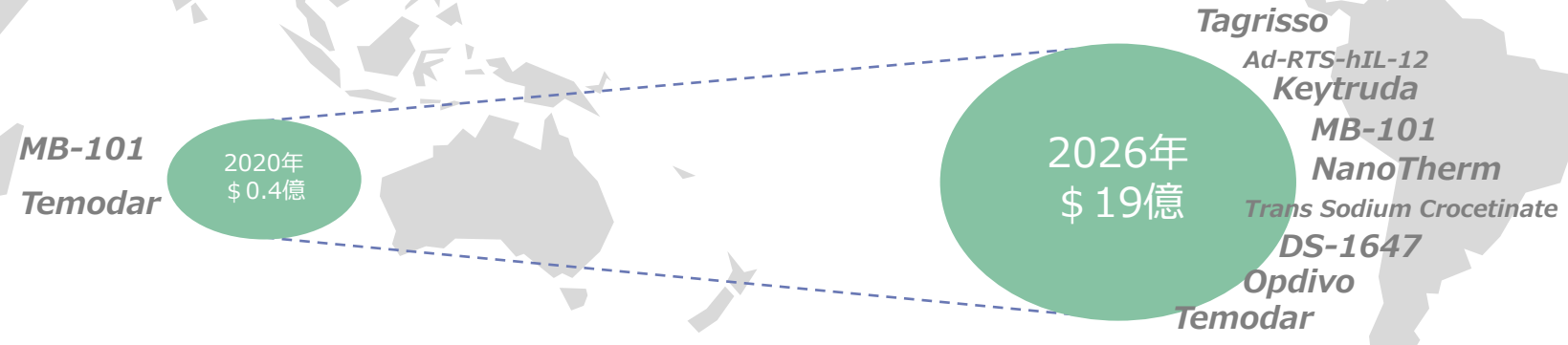
患者数

※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。



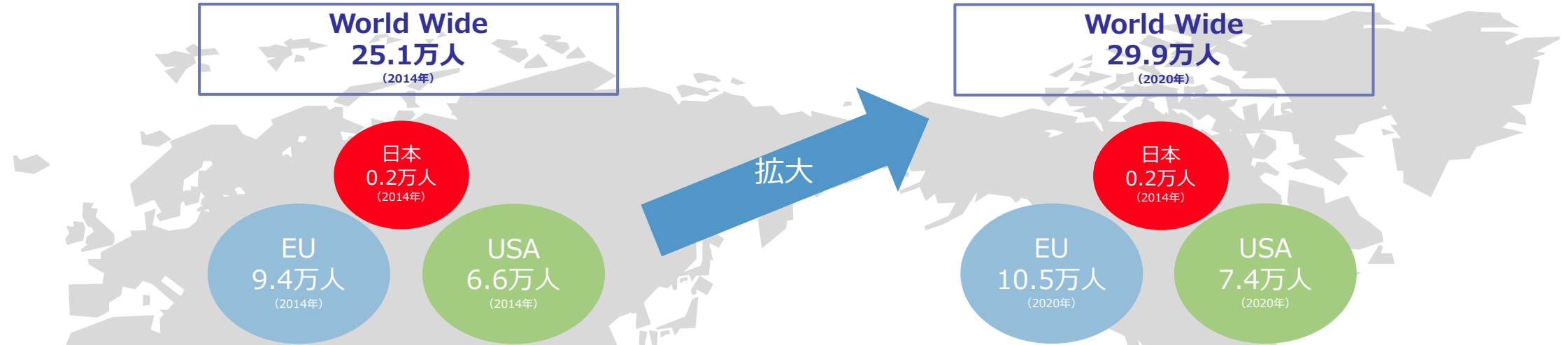
市場規模

※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。



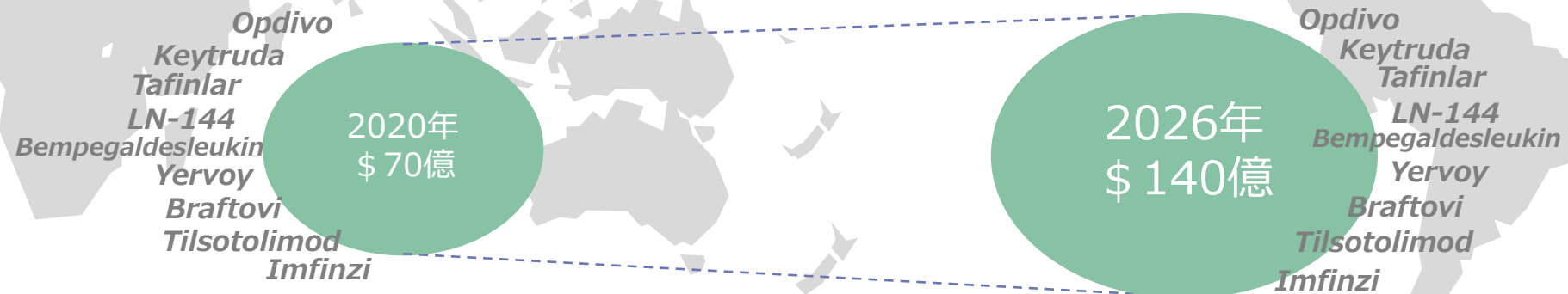
患者数

※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。




市場規模

※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。

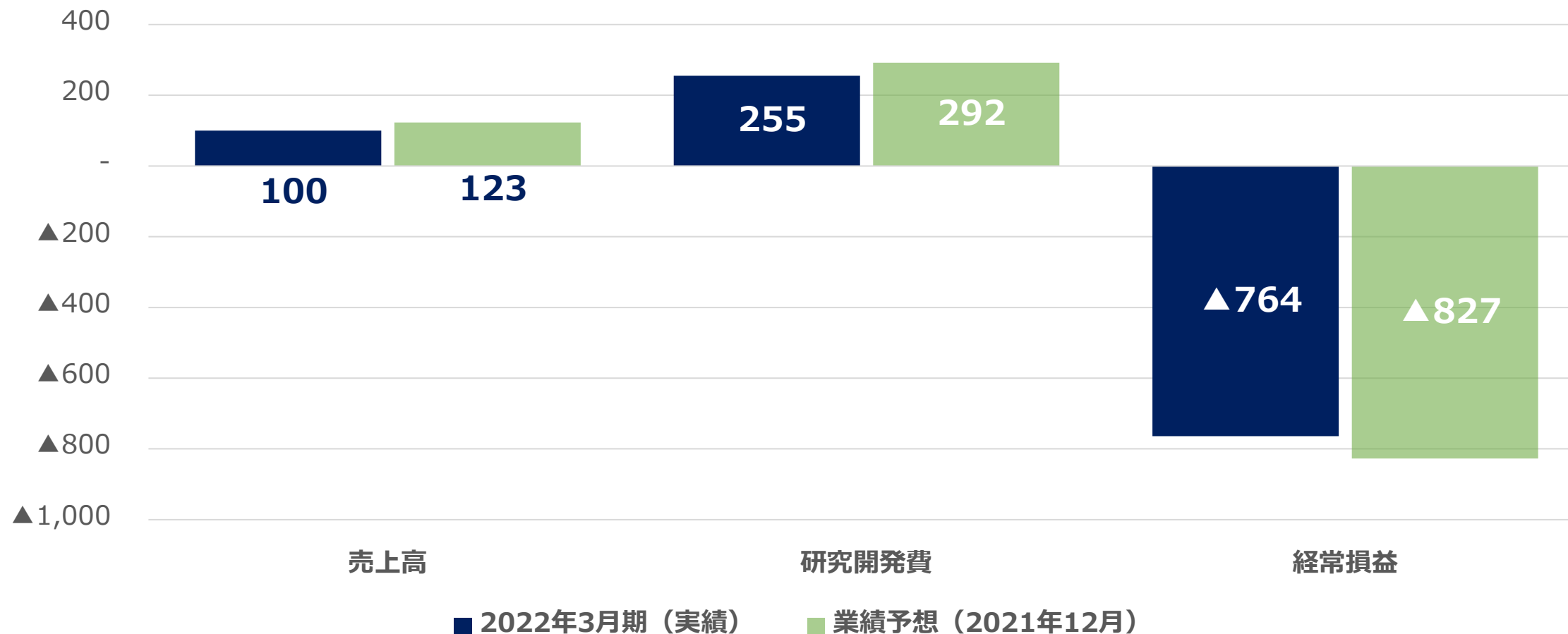


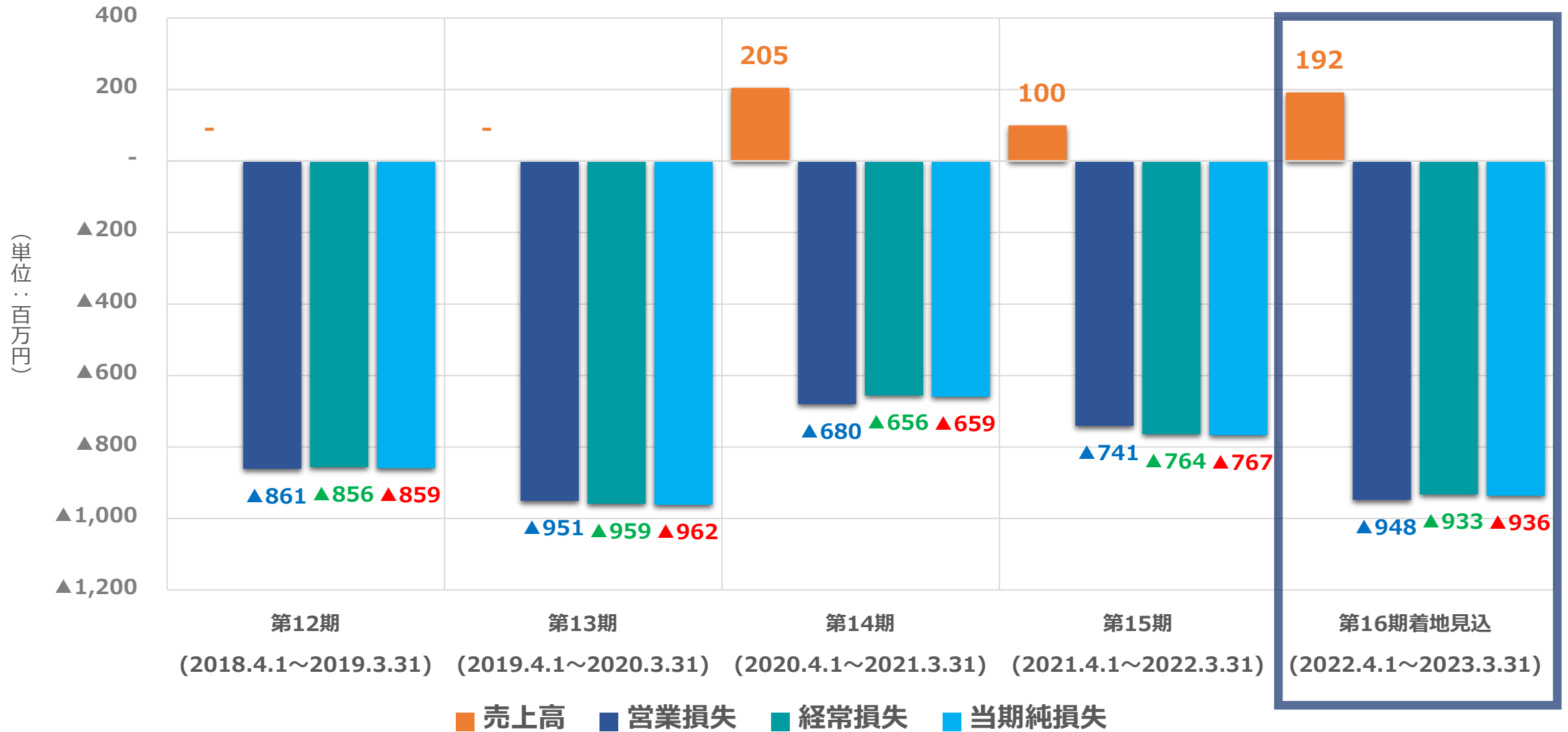
出所：Evaluate Pharma、日本の患者数は公益社団法人 日本皮膚学会より人口10万人あたり1.5~2人に対し、日本の人口をかけて算出
台湾衛生福利部国民健康署ホームページ「癌症登記報告」<https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=269&pid=13498>



6. 業績推移・リスク情報

売上高については、コロナウイルス感染症の再拡大に伴う医療機関への受診控えや医薬品卸会社の在庫調整の影響により、予想を下回る結果となりました。また、研究開発費を含む経常損益は、進行年度において事業計画の進捗状況を再評価しつつ、経費削減を徹底したことにより、予想を下回る結果となりました。



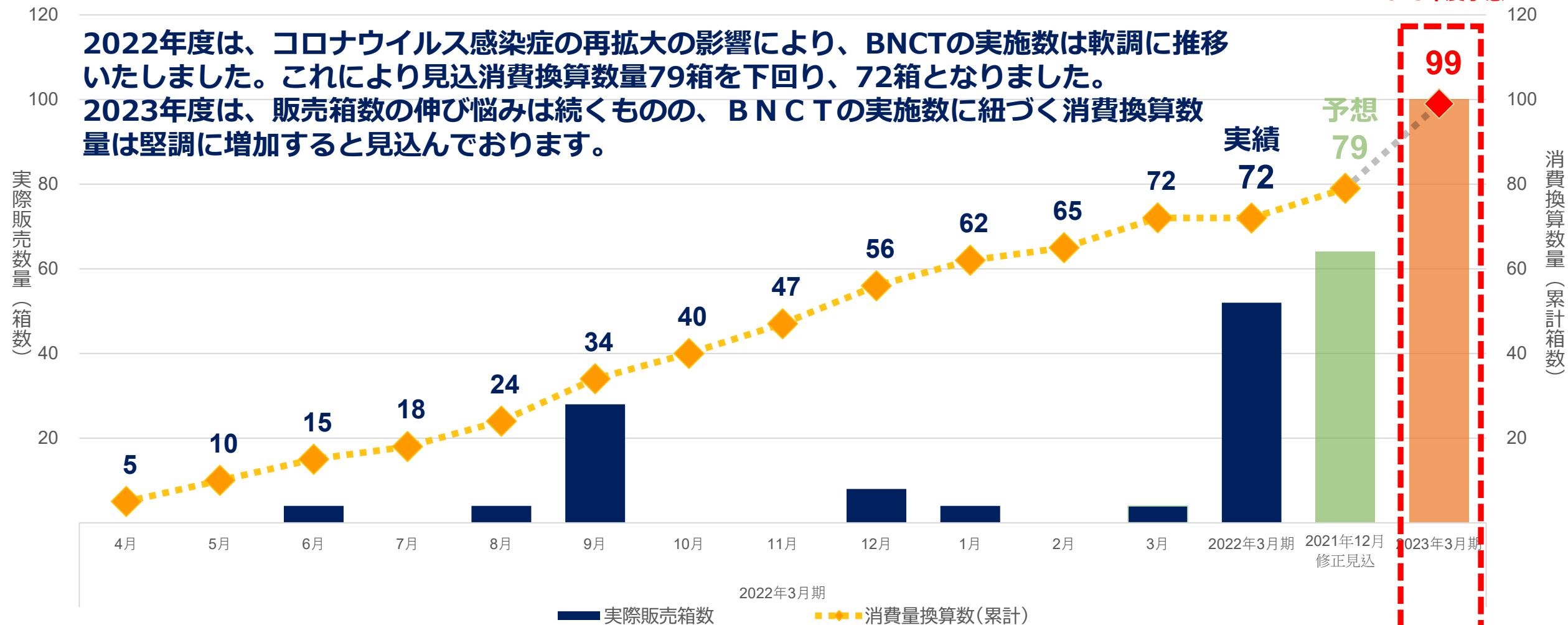


ステボロニン®販売実績と消費換算数量（累計）

2022年度は、コロナウイルス感染症の再拡大の影響により、BNCTの実施数は軟調に推移いたしました。これにより見込消費換算数量79箱を下回り、72箱となりました。

2023年度は、販売箱数の伸び悩みは続くものの、BNCTの実施数に紐づく消費換算数量は堅調に増加すると見込んでおります。

2023年度予想



消費換算数量は医療施設で実施された症例数に、当社が独自で算定しております平均消費袋数を乗じて得た値を箱数に換算して推計し、その累計値をグラフとして表示しております。

(単位：百万円)

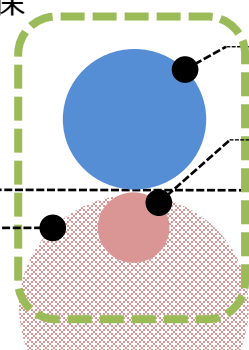
	具体的な使途	調達金額 (充当金額)	支出時期
①臨床試験等の開発資金	再発脳腫瘍 (国内)	30 (30)	2022年3月期
	メラノーマ	400 (－)	2023年3月期～2026年3月期
	初発脳腫瘍 (国内)	120 (－)	2025年3月期～2026年3月期
	頭頸部癌 (欧州)	409 (－)	2024年3月期～2026年3月期
	頭頸部癌 (米国)	152 (－)	2024年3月期～2026年3月期
②海外展開のための技術移管等に係る開発資金		158 (－)	2023年3月期～2024年3月期
③長期借入金の返済原資		800 (160)	2022年3月期～2026年3月期
④事業運営及び開発のために必要な人件費等		1,497 (318)	2022年3月期～2026年3月期
	合計	3,567 (508)	

現在の姿

企業価値向上のため適応拡大や海外進出に関する投資を積極的に行う
(数ヶ年は損失を計上見込み)

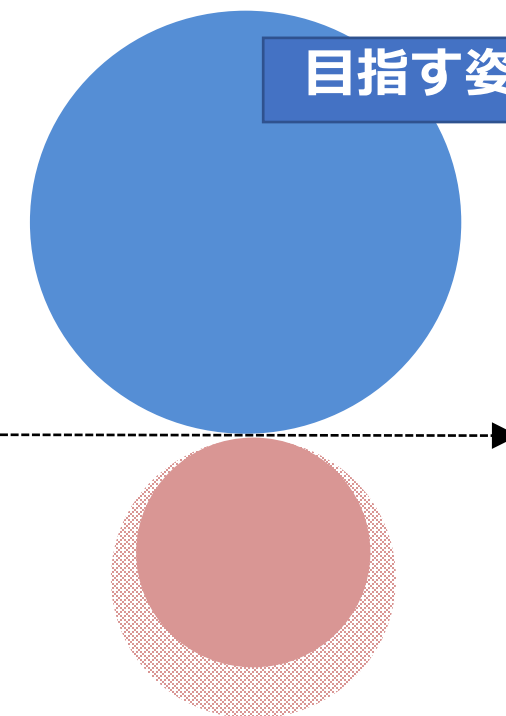
目指す姿

日本国内の頭頸部癌に対するステボロニンの販売単体では利益を確保



パイプライン (頭頸部癌) の売上
パイプライン (頭頸部癌) の支出

	主な開発目標 (2022年3月期)	主な開発目標 (2023年3月期)	
上場資金	ステボロニン®の適応拡大		
	◆再発脳腫瘍	承認申請に向けた取り組み	追加の試験計画を立案
	◆メラノーマ/血管肉腫	第 I 相試験の実施継続	第 II 相試験を開始
	◆初発脳腫瘍	N / A (中長期目標)	研究協力によるデータ拡充
上場資金	BNCTの海外展開		
	◆アジア展開	海外拠点での製剤製造に着手	中国輸出に向けた体制整備
◆欧州展開	海外拠点での製剤製造に着手(継続)		
	新規シーズ探索		
	治験開始のための当局(PMDA)相談開始	治験実施体制の構築/検討	◆FBPA-PET
	最適な製剤処方への決定	最適な製剤処方の決定(継続)	◆PVA-BPA ※



※AMED採択による研究開発資金を充当

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	顕在化の可能性	顕在化の時期	当社の対応策
研究開発の不確実性	<ul style="list-style-type: none"> 医薬品の研究開発には、長期に亘り、大きな先行投資が必要 他の産業と相対的に比較して、研究開発の成功確率が低い 	開発が遅延し又は中止となる場合があり、当社の財政状態及び経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	中	長期	BNCTは、原子炉中性子を利用した臨床研究実績が豊富であり、そのデータを活用することで開発成功確度の高い適応疾患を選定します。
BNCT事業の特異性	<ul style="list-style-type: none"> BNCTは、医薬品(ホウ素薬剤)と医療機器(加速器)を併用するため、医療機器の事業展開の影響を受ける可能性 	医療機関への機器の設置が進まない場合や、医療機関に設置された加速器に不具合が生じた場合等においては、医療機関でのBNCTによる治療が制限され、当社の財政状態及び経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	契約締結等により、医療機器メーカーとの連携体制を強化し、医療機関への営業活動を共同で行うなど、BNCTの発展に向け協業していきます。
資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> 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影響を与える可能性 	必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に重大な懸念が生じる可能性があります。	中	中長期	営業キャッシュ・フローの早期黒字化に加え、金融機関との取引実績を積み重ねること等により、安定した資金調達を行えるようにします。

上記を含めたリスク情報の詳細は、有価証券報告書の「第一部 企業情報 第2 事業の状況 2 事業等のリスク」をご参照ください。



Appendix

- 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。これらの将来の見通しに関する記述は、将来の事象や動向に関する当該記述を作成した時点における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補償はありません。さらに、こうした記述は、将来の結果を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包するものです。実際の結果は環境の変化などにより、将来の見通しと大きく異なる可能性があることにご留意ください。
- 上記の実際の結果に影響を与える要因としては、国内外の経済情勢や当社の関連する業界動向等が含まれますが、これらに限られるものではありません。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、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。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本資料の更新は、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。

P.5	先駆け審査指定制度	<p>一定の要件を満たす新薬等について、厚生労働省が、開発の比較的早期の段階から薬事承認に係る相談・審査等において優先的な取扱いを行う制度。具体的には、「①治療薬の画期性、②対象疾患の重篤性、③対象疾患にかかる極めて高い有効性、④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思」の4つの要件を満たす画期的な新薬等を開発段階で対象品目に指定し、新たに整備された相談の枠組みを優先的に適用し、かつ優先審査を適用することにより、審査期間を6ヶ月（通常は12ヶ月）まで短縮することを目指すものとされる。</p> <p>当社は、再発悪性神経膠腫と切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）について、対象品目の指定を受け、2020年3月には切除不能な局所再発頭頸部癌及び局所進行頭頸部癌を対象として、製造販売承認を取得しました。</p>
P.28	CE mark	<p>商品がすべてのEU（欧州連合）加盟国の基準を満たすものに付けられる基準適合マーク。定められた安全性基準を満たすことで製品上にCEマークを表示することができ、流通が可能となる。※医療機器としての承認は別途必要</p>
P.39	フェニルアラニン	<p>アミノ酸の一種で、側鎖にベンジル基を持つ。略号は Phe または F。アラニンの側鎖の水素原子が1つフェニル基で置き換えられた構造を持つことが名称の由来である。室温では白色の粉末性固体。</p>
P.39	チロシン	<p>細胞でのタンパク質生合成に使われる22のアミノ酸のうちの一つ。略号は Tyr または Y。コドンにはUACとUAU。極性基を有するが必須アミノ酸ではない。tyrosineはギリシア語でチーズを意味するtyriに由来し、1846年にドイツ人化学者のユストゥス・フォン・リービヒがチーズのカゼインから発見した。官能基または側鎖のときはチロシル基と呼ばれる。</p>
P.39	LAT-1	<p>L-type amino acid transporter-1（L型アミノ酸トランスポーター1）の略称。細胞の増殖等に必要アミノ酸の輸送に関わるタンパク質をアミノ酸トランスポーターと呼ばれる。アミノ酸トランスポーターは正常細胞にも存在しますが、LAT-1は多くのがん細胞に選択的かつ高発現するアミノ酸トランスポーターであり、フェニルアラニンやチロシンを輸送する。</p>

