

Veritas In Silico

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs

事業計画及び成長可能性に関する事項

株式会社Veritas In Silico

2024年2月8日



Contents

- 1 会社概要
- 2 ビジネスモデル
- 3 外部環境
- 4 事業進捗
- 5 創薬プラットフォーム
- 6 成長戦略
- 7 財務ハイライト
- 8 事業等のリスク



1 会社概要

Corporate Overview



理念

mRNA標的低分子創薬で 希望に満ちたあたたかい社会の実現を

創薬のフロンティアを
切り拓くパスファインダー
(Pathfinder)として

どんな疾患の患者様も
最適な治療が
受けられるように

会社概要

mRNA標的低分子創薬に取り組む プラットフォーム型のバイオテック企業

会社名	株式会社Veritas In Silico (VIS)
設立	2016年11月17日
本社	東京都品川区西五反田一丁目11番1号
事業所	基礎研究部門:神奈川県川崎市 応用研究部門:新潟県新潟市
代表者	代表取締役社長 中村 慎吾
従業員数	15名(2023年11月末現在)
資本金	9,000万円(2023年11月末現在)
事業内容	独自の創薬プラットフォーム ibVIS® により、 製薬会社と共同創薬研究を通じて、 mRNA標的的低分子医薬品の創出に取り組む



基礎研究部門

(かわさき新産業創造センター内)

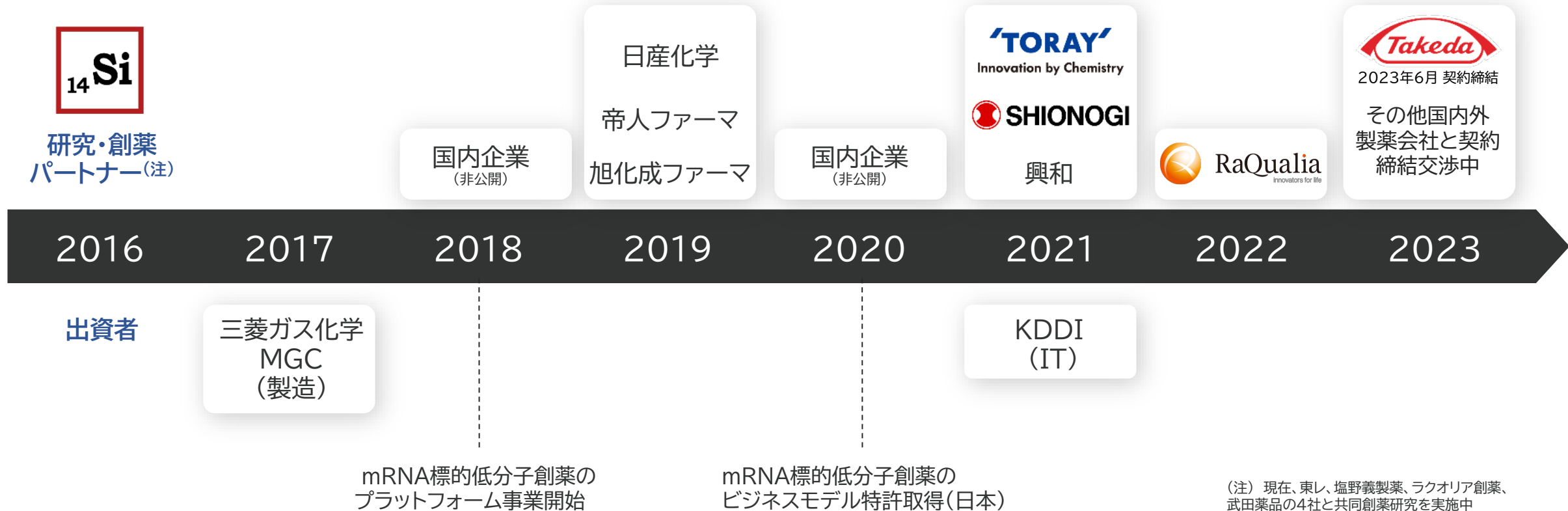


応用研究部門

(新潟薬科大学内)

名だたる企業からの信頼を受けて着実に事業を拡大

事業会社からの支援のもと、特徴ある研究・創薬パートナーと共にmRNA標的的低分子創薬を推進



シリーズA~C 資金調達総額 27.3億円

当社創立者の発想を現実化させたmRNA標的 low molecular weight 創薬

当社の代表取締役であり創立者の中村は、mRNA標的 low molecular weight 創薬を約20年前に発想した
それ以降、中村はこの概念を実現するパスファインダーとなるべく、様々な実務経験を積んだ



代表取締役社長
中村 慎吾 PhD

創薬研究から事業開発、営業、
企業経営、バイオテック企業への投資に
至るまで幅広い実務経験を有する



2000年

～2003 科学者としての経歴

多様な科学的背景: 中村は、名古屋大学にて**情報工学**について学び、**有機化学**について博士号を取得した。その後、米国エール大学で博士研究員を勤める際には、**RNA生物学**を研究した mRNA標的 low molecular weight 創薬の概念は、この科学的背景をもとに発想された

2005年

2003-2011 製薬業界での経歴

武田薬品における研究: 中村は、武田薬品にて mRNA標的 low molecular weight 創薬を2003年に発想し、以降その社内プロジェクトを7年間主導した

世界初となる mRNA標的 low molecular weight 創薬のビジネスモデル特許を2004年に出願

2010年

2011-2015 ビジネスの経歴

ビジネス経験: 中村は、米国Dow Chemical の営業部マネジャー、その後Catalent社^(注)の事業開発ディレクターとしてビジネスの実務経験を積んだ

2015年

2015-2017 投資家としての経歴

投資経験: 中村は、産業革新機構にてベンチャーキャピタリストとして投資業務を行い、さらに投資先のバイオテック企業で取締役を務め、会社設立と会社経営の実務経験を積んだ

(注) 米国・ニュージャージー州に本社を置き、製薬会社及びバイオテック企業向けにデリバリー技術、医薬品製造、生物製剤、遺伝子治療薬、消費者向け健康製品を提供するグローバル医薬品受託製造会社(CDMO)

実務経験豊富なマネジメントチーム

製薬・バイオ業界において豊富な経験を有する経営陣及び少数精鋭の事業開発・創薬研究チーム



取締役・事業本部長
上村 孝 PhD

医薬品の研究開発から事業開発、知的財産などの幅広い実務経験に比べ、製薬業界と核酸化学分野において幅広い人脈を有する
日本核酸医薬学会評議員



取締役・管理本部長
松岡 弘之 CPA

公認会計士としてIPO準備会社の監査及びコンサルティング業務に従事した経験を有する



社外取締役・独立役員
小南 欽一郎 PhD

テック&フィンストラテジー株式会社 代表取締役
アカデミアで助手を勤めた後、証券会社でバイオアナリストとして活動し、バイオテック業界に幅広い人脈を有する



サイエンティスト

- 構造生物学
- 生物物理学
- 細胞生物学
- 計算科学
- 有機化学

事業開発

- 薬理学
- 発生生物学

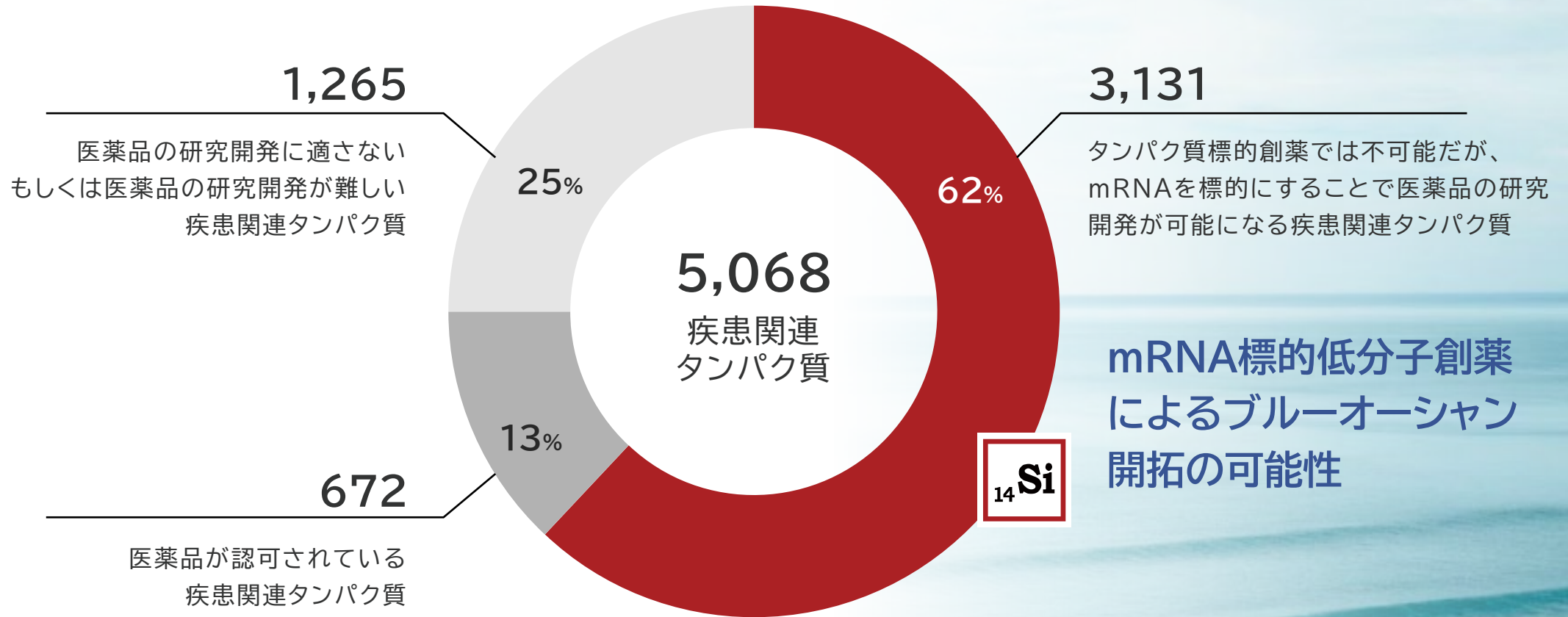
博士号保持者
社員15名中6名

(注)2023年11月末現在

大手企業経験者の
中途採用を中心に構成

治療“できない”を“できる”にするmRNA標的 low molecule創薬

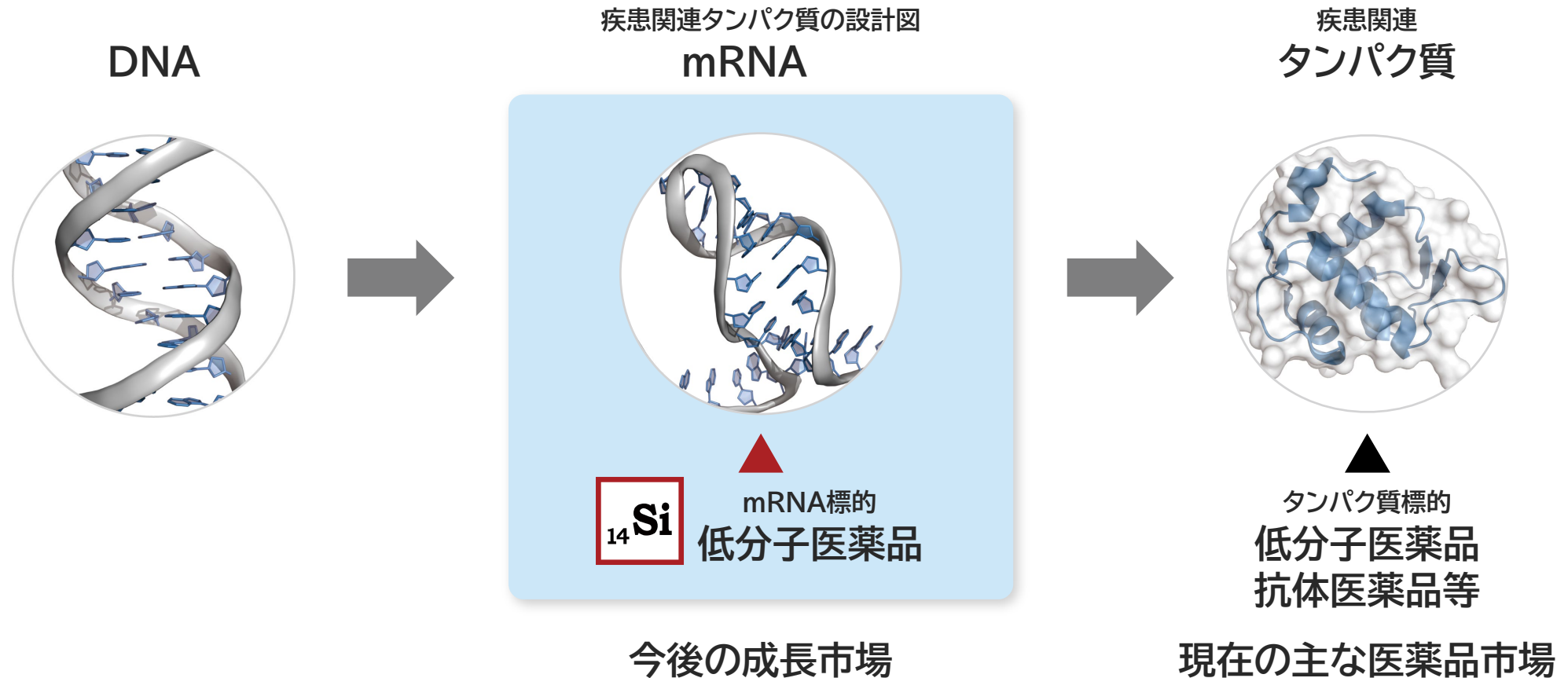
従来のタンパク質を創薬標的とした創薬技術では“Undruggable(創薬不可能)”な疾患もmRNAを創薬標的とすることで“Druggable(創薬可能)”に新しい創薬アプローチであるmRNA標的 low molecule創薬により、疾患関連タンパク質において大きな割合を占めるブルーオーシャンを開拓できる可能性がある



出典: The Human Protein Atlas, DrugBank, KS analysis, 2018 をもとに当社にて作成

ブルーオーシャンでmRNAを標的とした低分子医薬品を創出

当社は、タンパク質の設計図であるmRNAを創薬標的として、経口投与が可能で医療経済的に望まれている低分子医薬品の創出を目指す
現時点において本創薬で上市された低分子医薬品はないが、ブルーオーシャンで低分子創薬に取り組めることから将来的な市場の成長が期待できる



(注) mRNA標的低分子医薬品の研究開発は世界的に見てもほとんどが研究段階であり、本創薬で上市された低分子医薬品はありません(2023年11月末現在)

mRNAはタンパク質よりも低分子医薬品の標的が豊富

低分子創薬とは、創薬標的上に「鍵穴」を探索し、「鍵穴」にピッタリとはまる「鍵」(低分子医薬品)を見つける一連のプロセスである

タンパク質標的の低分子創薬とmRNA標的の低分子創薬は、標的がタンパク質とmRNAで全く異なるが、低分子医薬品を見つける一連のプロセスは共通している

タンパク質標的創薬

ターゲット探索



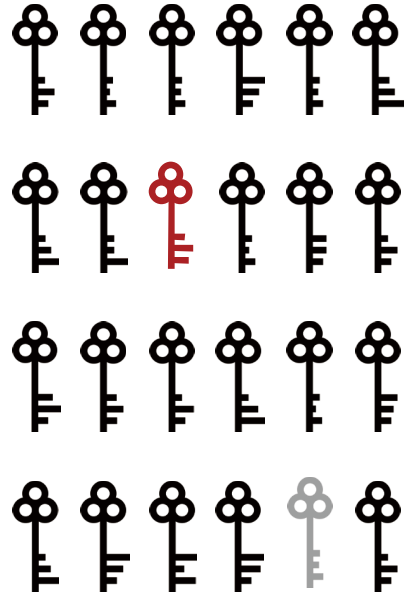
❗ 課題: 一部のタンパク質にしか「鍵穴」が存在しない(創薬標的の枯渇)

スクリーニング(注1)



ヒット化合物(注2)
(鍵候補)

低分子化合物群



※スクリーニングに用いる化合物群を化合物ライブラリーという。

mRNA標的創薬

ターゲット探索



当社の技術: コンピュータでmRNAの部分構造を計算、多くのmRNAに「鍵穴」を発見できる

スクリーニング



ヒット化合物
(鍵候補)

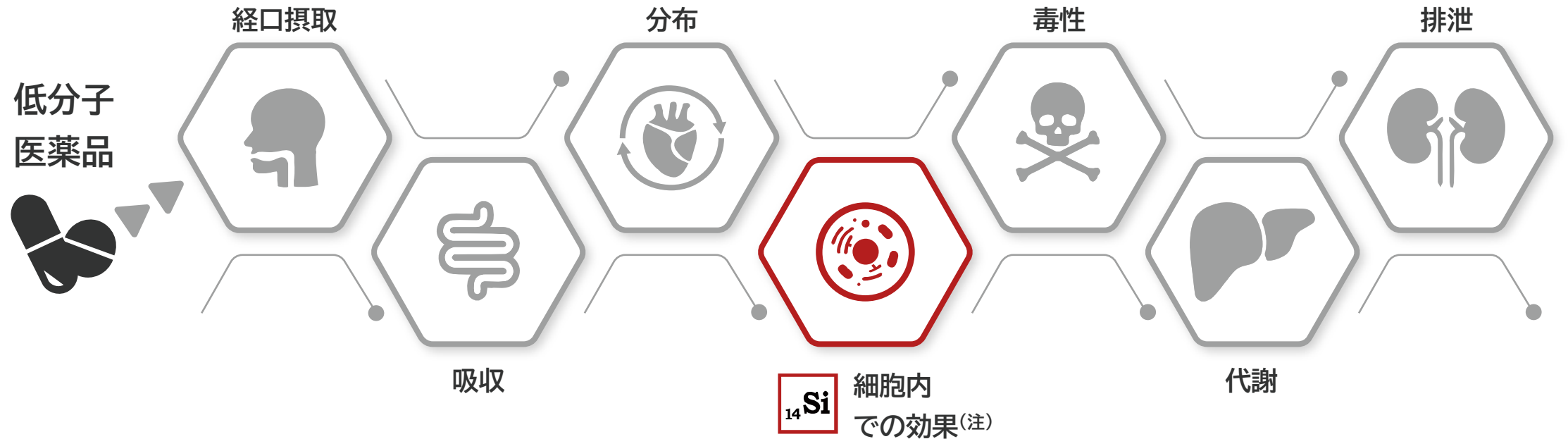
当社の技術: 「鍵穴」に対する定量的スクリーニング法を構築できる

(注1) 様々な化合物の中から一定の基準を満たす化合物を選択するためのプロセス(鍵穴に対して鍵候補を見つけるプロセス)

(注2) スクリーニングで一定の基準を満たした化合物(鍵候補)

mRNA標的低分子創薬に特有の検討項目である「細胞での効果」

医薬品の研究開発では、医薬品の主作用だけでなく、吸収性、移行性、代謝や排泄、および安全性といった課題の検討が必要だが、mRNA標的低分子創薬の最終目的物はタンパク質標的の場合と同様に低分子医薬品であるため、mRNA標的低分子創薬に特有の検討項目は主作用の「細胞内での効果」のみであると考えられる



低分子創薬に固有
(共通)の部分

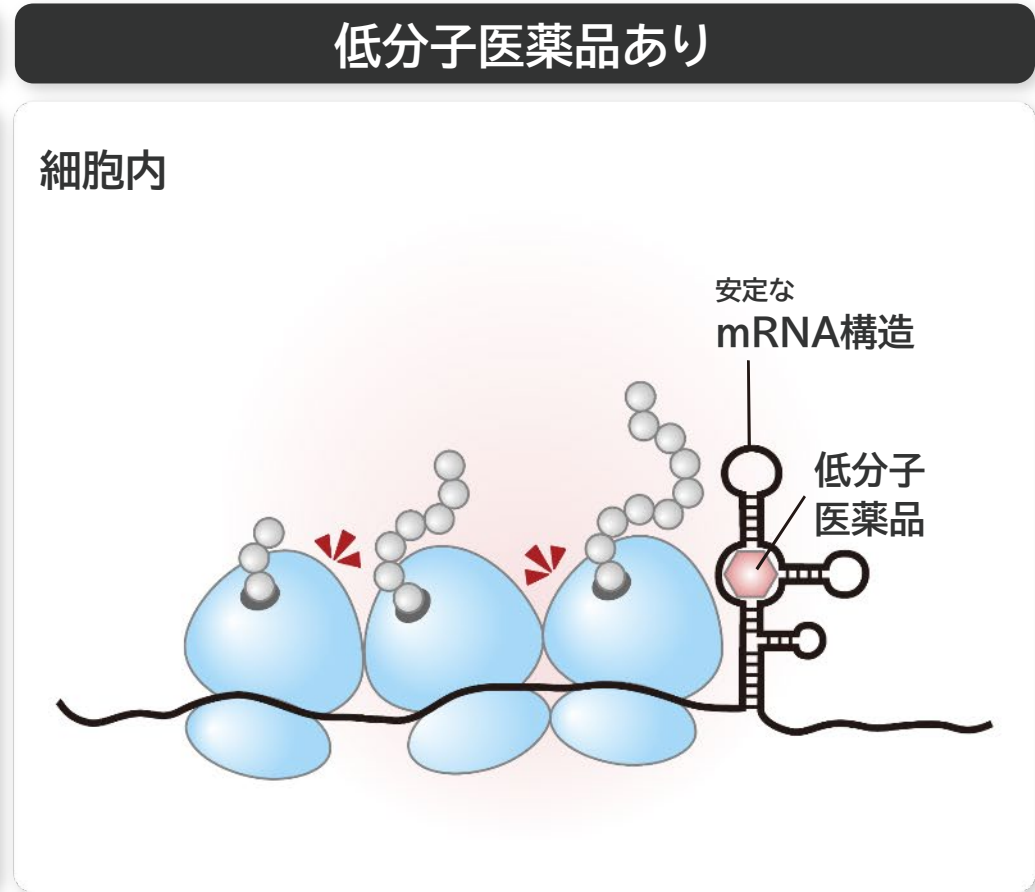
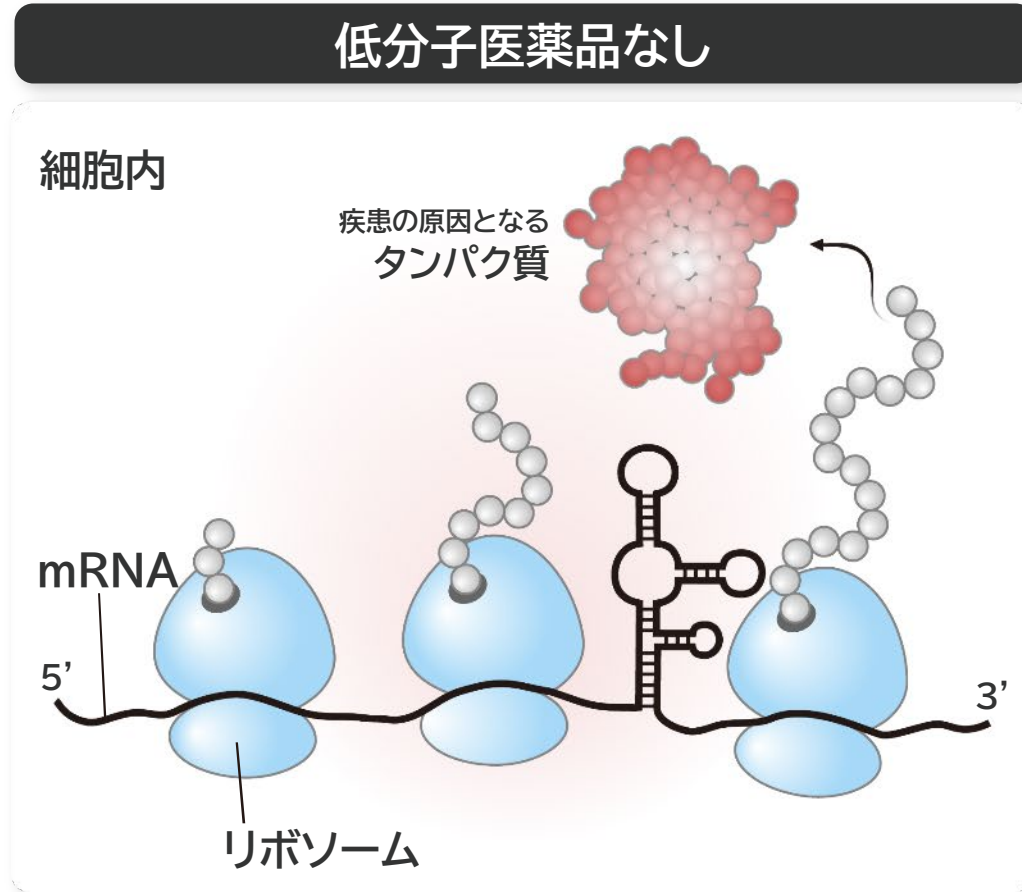
当社のプラットフォーム技術が必要な、
mRNA標的低分子創薬に特有の部分

(注) 当社では、自社研究と製薬会社との共同創薬研究で、既に「細胞内での効果」を示す低分子化合物を取得している詳細はP37を参照

さまざまな疾患の治療に適用できる汎用性のある作用メカニズム

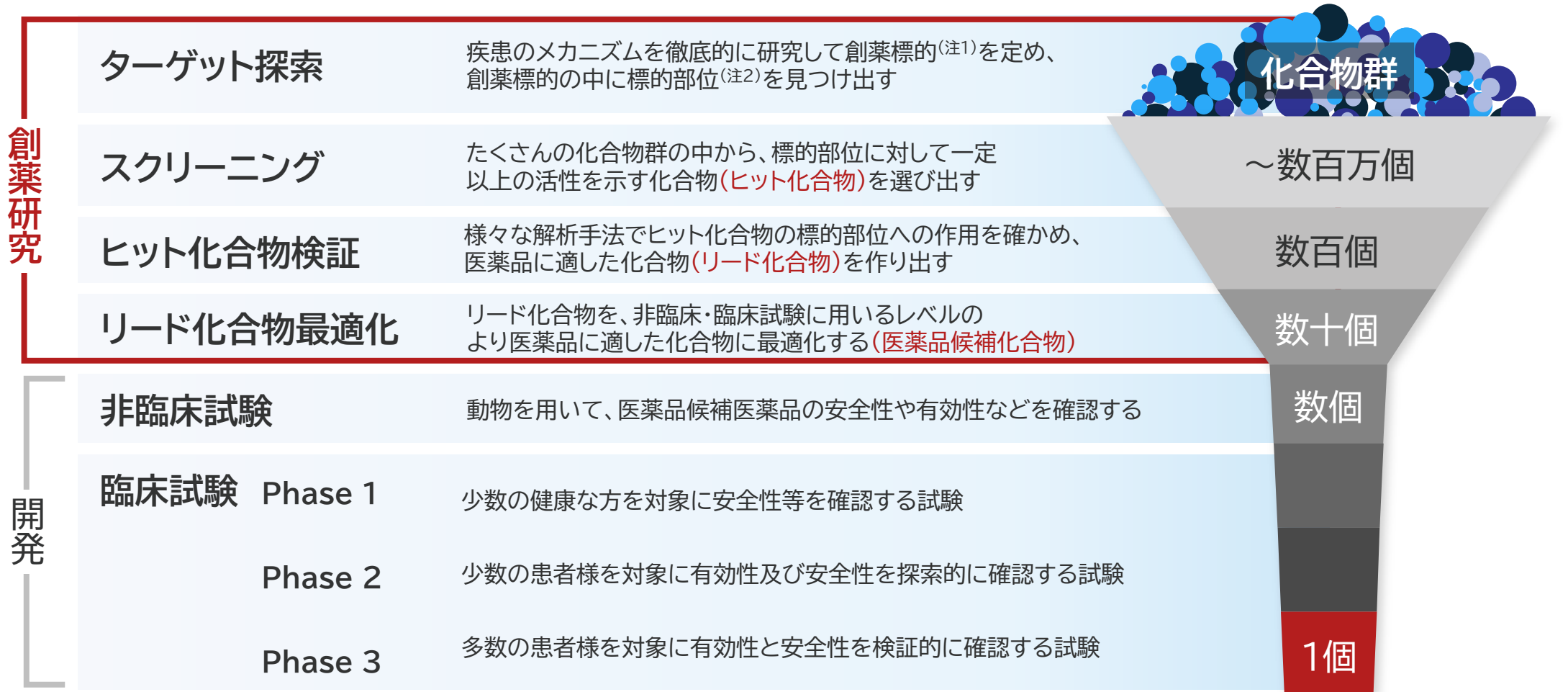
細胞内では、タンパク質の設計図であるmRNAの情報をリボソームが左から右(下図)に読み取ることでタンパク質が合成される

低分子医薬品によりmRNA上の構造が安定化されると、リボソームはmRNAの情報を読み進めることができなくなりタンパク質の合成はストップする



mRNA標的 low molecular weight 医薬品の創薬研究が当社の事業範囲

mRNA標的 low molecular weight 創薬は、タンパク質標的 low molecular weight 創薬と開発以降のプロセスは共通している。当社の技術力により mRNA標的 low molecular weight 医薬品の創薬研究を可能にすることで、一般的な医薬品の研究開発と同様に、mRNA標的 low molecular weight 医薬品の研究開発を実行することができるようになる



(注1) 疾患関連タンパク質やその設計図である mRNA などが創薬標的となる。製薬業界では、一般的に「標的分子」と言われている

(注2) 創薬標的の決定後、医薬品で創薬標的全体のどの部位(構造)を狙うか定める必要がある。当社の場合、低分子医薬品で狙う部位(構造)のことを「ターゲット構造」と呼んでいる

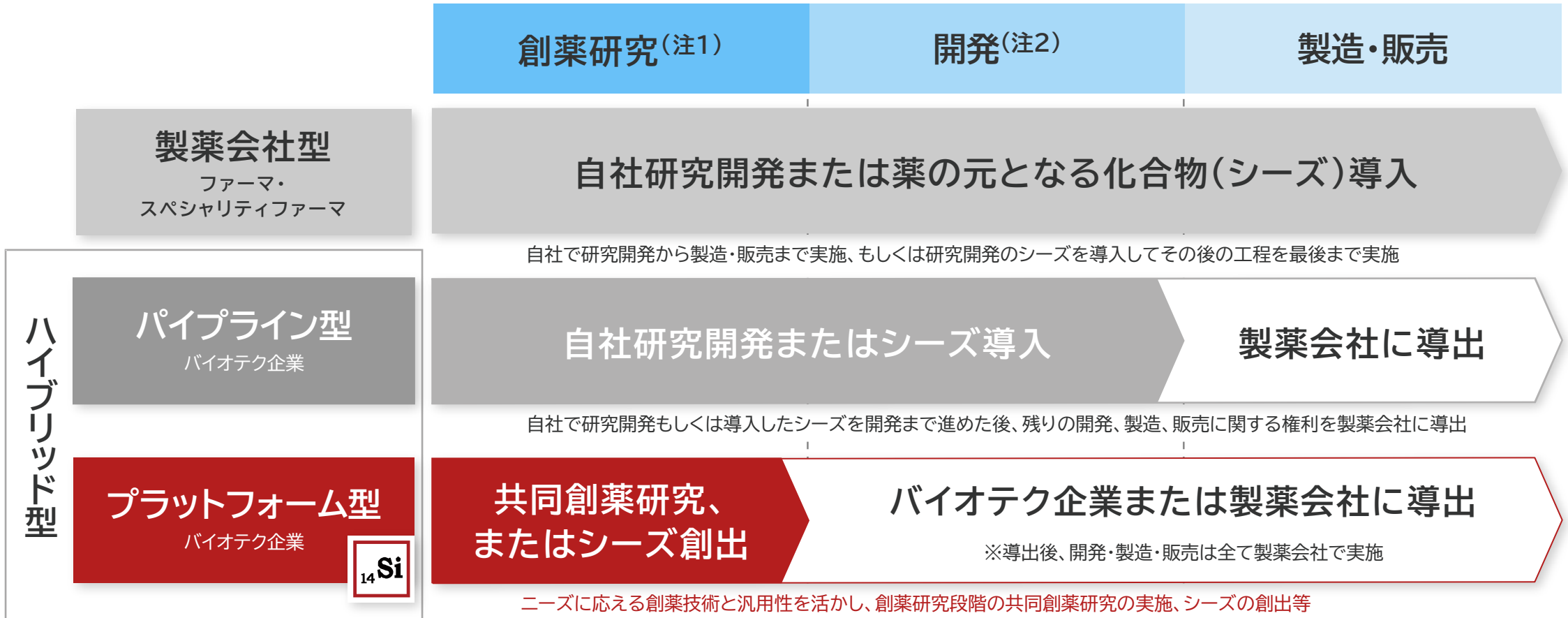


2 ビジネスモデル

Business Model

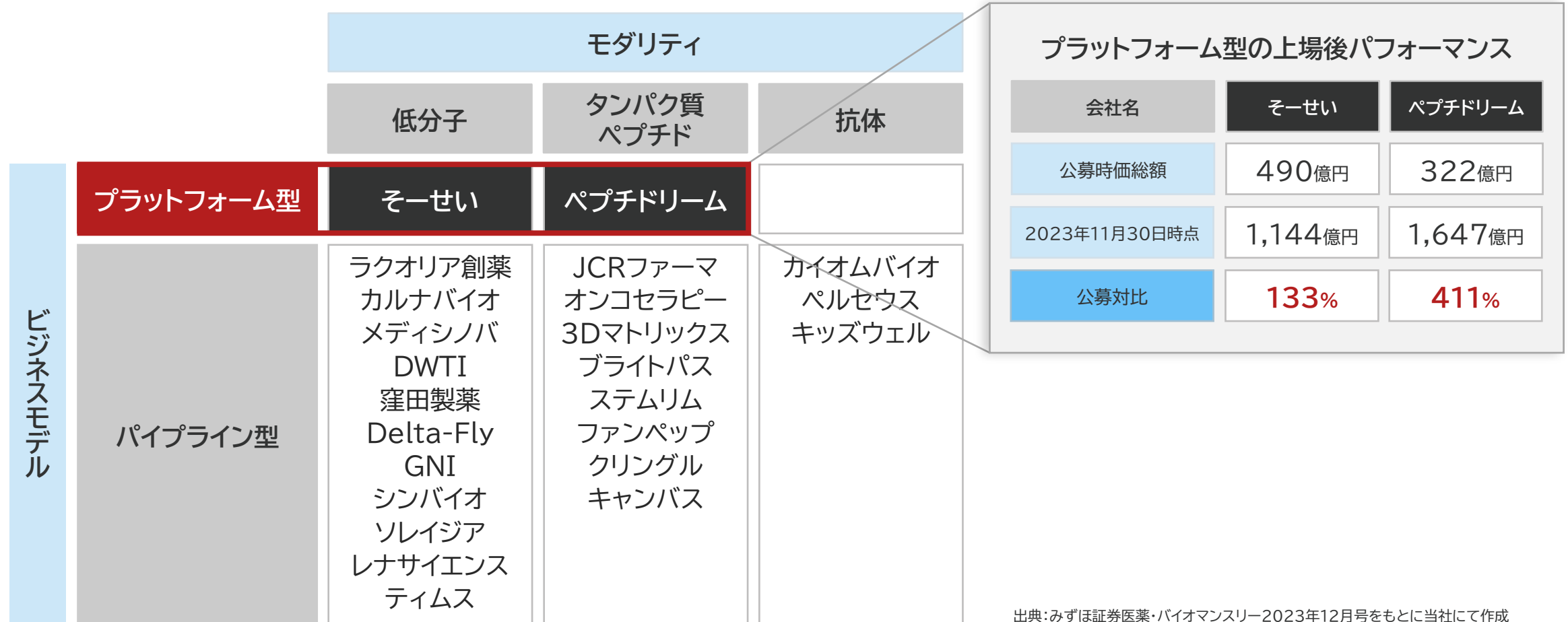
技術力を活かしたプラットフォーム型ビジネスに注力

当社は幅広いニーズに応えるmRNA標的low分子創薬の技術力を武器として、プラットフォーム型ビジネス(独自の基盤技術を、共同創薬研究等を通じて複数の製薬会社へ提供)に注力している。製薬会社との共同創薬研究を通じて、mRNA標的low分子創薬の潜在的な市場のシェアをいち早く獲得する



プラットフォーム型バイオテック企業は高成長が期待できる


製造法が確立しているモダリティ(医薬品の分類)をてがけるバイオテック企業のビジネスモデルは、主にプラットフォーム型とパイプライン型である
プラットフォーム型バイオテック企業の代表例は「そーせい」「ペプチドリーム」であり、どちらも上場後に高成長を果たしている



出典:みずほ証券医薬・バイオマンスリー2023年12月号をもとに当社にて作成

mRNA標的 low molecular weight 創薬の日本初プラットフォームとして上場

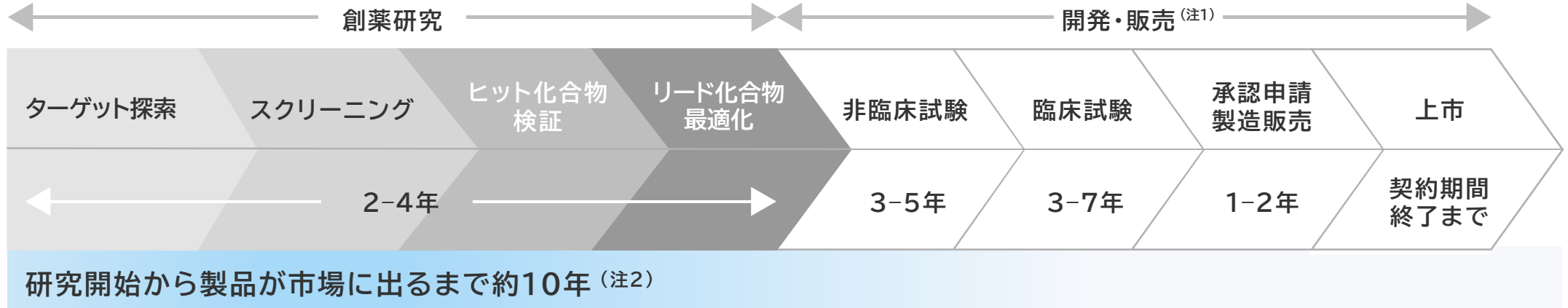
mRNA標的 low molecular weight 創薬でプラットフォーム型ビジネスを実現する当社の技術力により、今後より多くの製薬会社との共同創薬研究を実施できる可能性がある数々の製薬会社との契約を実現してきたそーせい、ペプチドリーム2社に、契約数や時価総額で並び超えて行けるようなバイオテック企業を目指す

国内創薬プラットフォーム 会社名	上場時期	上場時時価総額	時価総額 2023年11月30日時点	主な 創薬標的・医薬品
 Veritas In Silico	2024年2月	—	—	mRNA標的/ 低分子医薬
ペプチドリーム 【4587】	2013年6月	322億円	1,647億円	タンパク質標的/ ペプチド医薬
そーせい 【4563】	2004年7月	490億円	1,144億円	タンパク質標的/ 低分子医薬

出典:みずほ証券医薬・バイオマンスリー2023年12月号、および各社開示情報をもとに当社にて作成

創薬研究の初期から長期にわたり安定した事業収益を実現

当社と製薬会社との共同創薬研究契約では、当社の創薬プラットフォームibVIS®の使用に対して創薬研究の初期から事業収益が得られる開発・製造・販売権のライセンス以降も、創薬研究における当社の貢献に応じて収益が得られるプラットフォーム型の契約を締結している



契約一時金	契約締結時に一時金として受け取る事業収益
研究支援金	研究実施等に対する対価として創薬標のごとに受け取る事業収益
マイルストーン	研究・開発・売上の進捗に応じて、事前に設定したイベントを達成した際に受け取る事業収益
ロイヤリティ	医薬品販売開始後に年間の売上高に応じて受け取る事業収益

(注1) 現時点(2023年11月末現在)、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績はありません
 (注2) 上市までの期間については、実際の研究開発状況により大きく異なる可能性があります
 (注3) ibVIS®を使用した当社と製薬会社の協業は、創薬研究期間中に限られます
 (注4) 開発・製造・販売ライセンスに関する取り決めについては、共同創薬研究契約に盛り込まれる場合があります



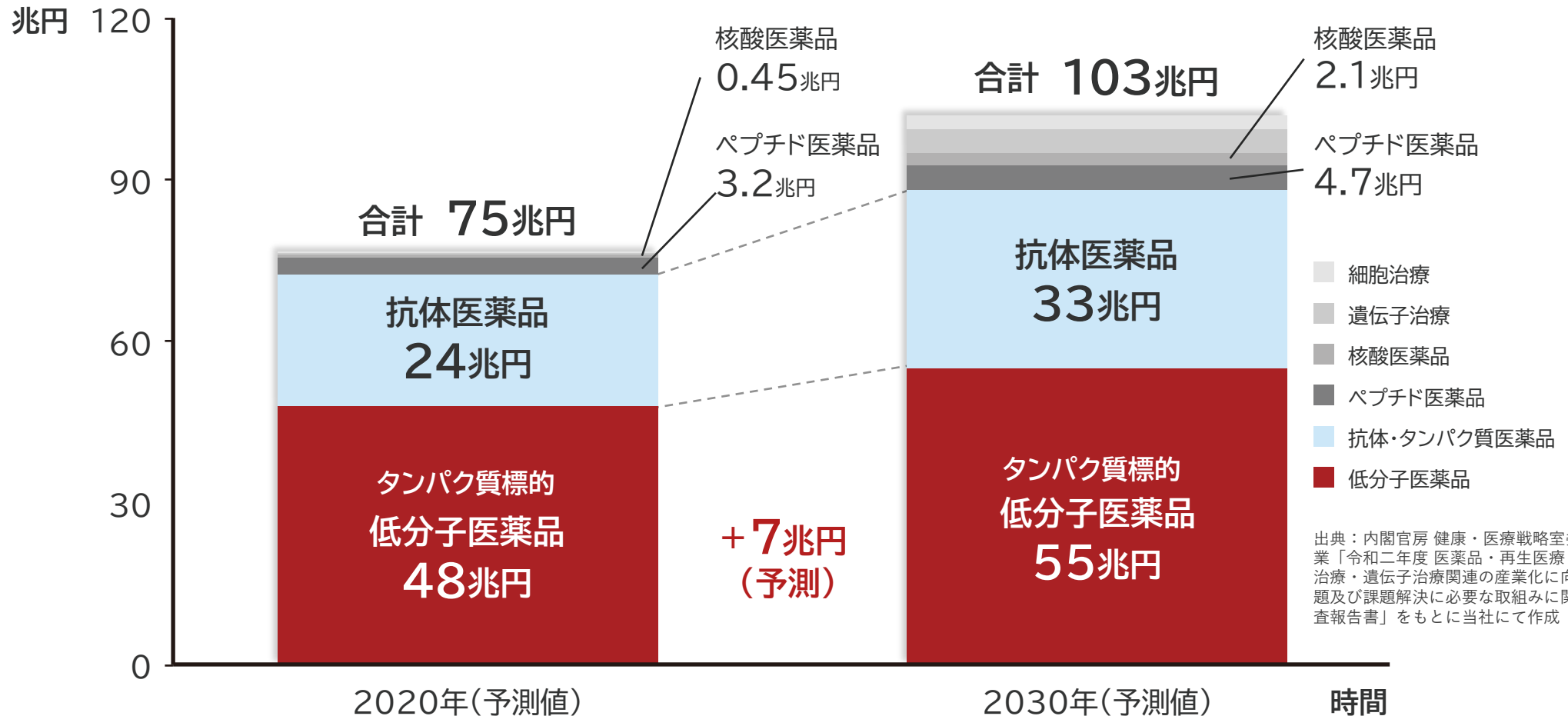
3

外部環境

External Environment

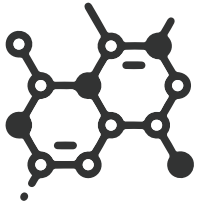



医薬品市場の中心は低分子医薬品

低分子医薬品の市場は成熟期を迎えているが、今後も一定の成長が見込まれ、2030年においても医薬品市場全体の半分以上を占めると予測されている



低分子医薬品は経口投与が可能で低コスト製造法が確立された商材

医薬品業界は製造業。科学的に優れた創薬技術であっても、医薬品の大量製造やコストに問題があれば商材とならず市場は形成されない。経口投与が可能で患者様の負担も小さい低分子医薬品は、製法が確立されており製造コストも極めて低い。

医薬品の種類		低分子医薬品	中分子医薬品・バイオ医薬品		
			ペプチド医薬品	核酸医薬品	抗体医薬品
形状(イメージ)					
分子量		100~500	500~1万	~1万	約10万~
製造	製法	化学合成	化学合成/培養	化学合成/培養	培養
	コスト	低い	非常に高い	非常に高い	高い
創薬標的	タンパク質	○	○		○
	mRNA	※		○	
投与経路	経口	○			
	その他	○	○	○	○

※ 現時点、本創薬で上市された医薬品はないが、当社技術を含むmRNAを標的とする低分子創薬技術の出現で本創薬は実施可能「○」になり、低分子医薬品市場の再成長の起爆剤となる

mRNA標的的低分子創薬時代の幕開け

RNA標的的低分子創薬の注目の高まり

科学系学術団体としては世界最大であるアメリカ化学会の2017年11月号学会誌(右上)でRNA標的的低分子創薬のバイオテック企業の勃興が特集されてから6年、同学会誌の2023年10月号で低分子創薬の再来が特集され(右下)、その中でRNA(核酸)標的が創薬の主流になりつつありとの見解が述べられている



DRUG DISCOVERY

The RNA drug hunters

Academics, biotech start-ups, and big pharma companies are designing small molecules that target RNA

by [Ryan Cross](#)

November 27, 2017 | A version of this story appeared in [Volume 95, Issue 47](#)

c&en
GLOBAL ENTERPRISE

DRUG DISCOVERY

Is this a golden age of small-molecule drug discovery?

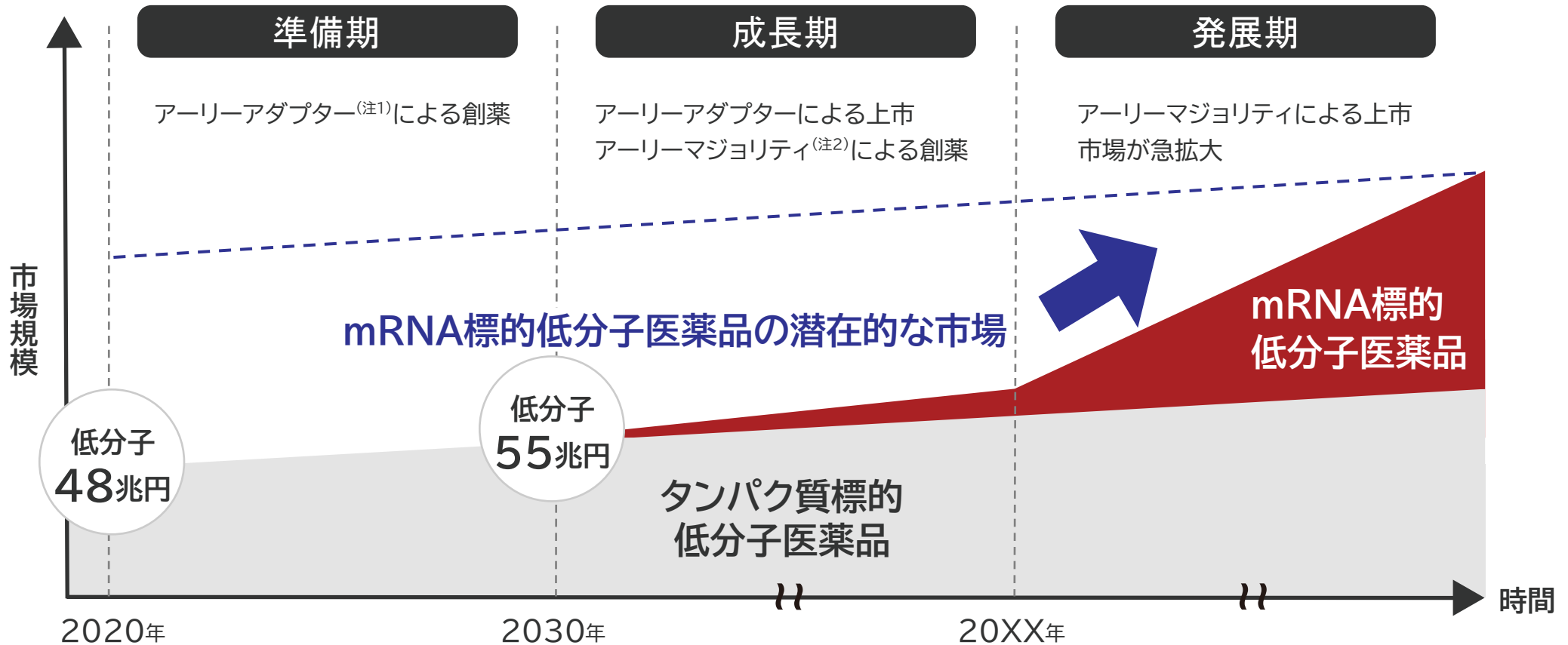
With innovative tools and techniques, it's an exciting time for medicinal chemists building new drugs

[Laura Howes](#)

C&EN, **2023**, 101 (36), pp 28–32 | October 30, 2023

タンパク質標的に匹敵するmRNA標的low分子医薬品の潜在市場

mRNA標的low分子創薬は現在**準備期**。当該創薬によりlow分子医薬品が市場に出れば、“Undruggable”だった疾患に対して研究開発が一気に広まるため**(成長期)**、mRNA標的low分子医薬品の市場は、将来的にタンパク質標的low分子医薬品に匹敵する大きな医薬品市場となることが期待できる**(発展期)**




(注1) 初期採用者とも呼ばれ、イノベーター(革新者)の次に商品やサービスを購入する人々

(注2) 前期追随者とも呼ばれ、アーリーアダプターからの影響を受ける人々

競合他社と比較して提携先数で上回ることに見える当社優位性

競合他社はパイプライン型で主に既知のターゲット構造を創薬対象とするのに対し、当社はプラットフォーム型で多種多様なターゲット構造を創薬対象としている
当社技術への信頼とこれまでの提携実績により、近年大型の契約が締結できるようになり全体の提携サイズも競合他社に迫りつつある

会社名	ビジネスモデル	提携先	提携サイズ(注)	疾患領域
 Veritas In Silico 設立2016年	プラットフォーム	東レ(2021年) 塩野義(2021年) ラクオリア創薬(2022年) 武田薬品(2023年)	1,144億円 提携総額	がん領域, 中枢神経疾患, 感染症, その他
Arrakis Therapeutics 米国 設立2015年	パイプライン	Roche (2020年) Amgen (2022年)	371億円 契約一時金 (n/a) 提携総額	非開示
Ribometrix 米国 設立2014年	パイプライン	Vertex (2019年) Genentech (2021年)	2,443億円 提携総額	非開示
Anima Biotech 米国 設立2014年	パイプライン	Eli Lilly (2018年) 武田薬品 (2021年) AbbVie (2023年)	3,914億円 提携総額	がん領域, 自己免疫疾患, 中枢神経疾患

(注) 1USD= 140円として換算
出典:Crunchbase及び各社ウェブサイト情報をもとに当社にて作成

競合他社に並ぶ技術力

国際会議でも競合他社と比肩して高く評価される当社創薬技術

米国で2023年8月に開催された国際会議「RNA Assay Development & Screening Summit」では、
当社の主席研究員が主要な招待講演者の一人に！当社の創薬技術は海外競合他社に比肩すると評価されている

Your Expert Speakers Include:



Matthew Disney
Professor & Chair of Chemistry
Scripps Research



Nick Marsh
Head of Molecular Pharmacology
Arrakis Therapeutics



Wencheng Li
Director of Bioinformatics
PTC Therapeutics



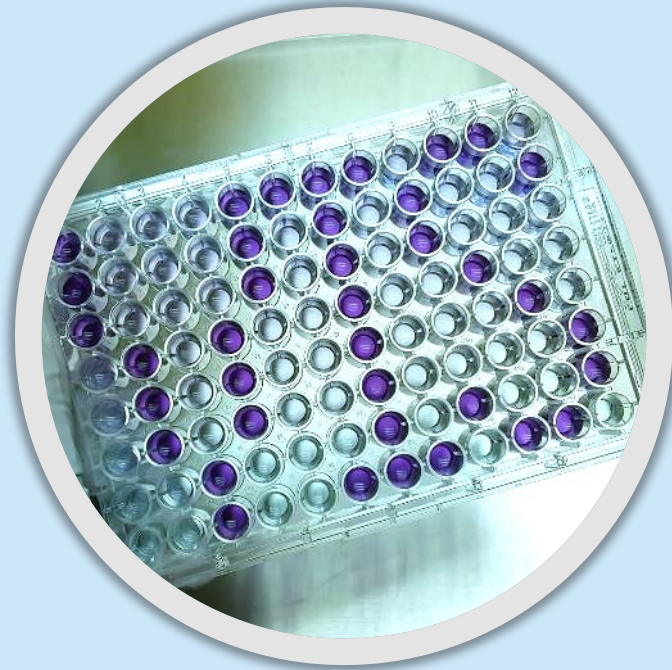
Ella Morishita
Senior Investigator
Veritas In Silico



May Khanna
Associate Professor
New York University



Peter Connolly
Senior Director of Structural Biology
Expansion Therapeutics



4 事業進捗

Business Progress

製薬会社との共同研究・共同創薬研究を糧にさらなる事業拡大へ

プラットフォーム型ビジネスの特性を生かしたibVIS®の技術力向上を達成し(2019年～)、より高収益の共同創薬研究契約の締結が可能になった(2021年～) Oncodesign Services (ODS) との事業協力により、新規契約を獲得してさらなる事業拡大を目指す(2023年～)



共同創薬研究において「細胞内での効果」を示す化合物を取得

現在共同創薬研究が進捗している東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品のプロジェクトでは、対象疾患は様々であるものの順調に進行中
 全社の中で最も進んでいるプロジェクトは、「ヒット化合物検証」の段階であり、本創薬で最も重要な検討項目「細胞内での効果」を示す化合物を取得済みである

主な提携先	提携時期	対象疾患	創薬研究進行段階	経済条件
	2021年4月	非開示	 <p>製薬会社との共同創薬研究で最も進んでいるプロジェクトは「ヒット化合物検証」の段階</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ VIS化合物持分あり^(注)
	2021年11月	感染症 精神・神経系疾患		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金最大850億円 ・ ロイヤリティあり
	2022年12月	がん領域		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり
	2023年6月	非開示		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり

(注) 東レとの共同創薬研究では、医薬品候補化合物の権利は東レと当社で共有し、当社は化合物の持分に応じた収益を受領する

共同創薬研究契約から短中長期的に得られる収益のポテンシャル

既存の共同創薬研究契約にもとづき短期的(創薬研究期間中)、中期的(開発期間中)な事業収益源を確保している

医薬品が上市された場合には、長期的(販売期間中)に数%のロイヤリティおよび販売額に応じたマイルストーン収入が見込まれる

契約一時金・研究支援金・ 研究マイルストーン



- 取得済収益 (2021年~2023年9月)
- 短期的収益 (創薬研究期間中に受領可能性)

開発マイルストーン



- 中期的収益 (開発期間中に受領可能性)
- 長期的収益 (販売期間中に受領可能性)

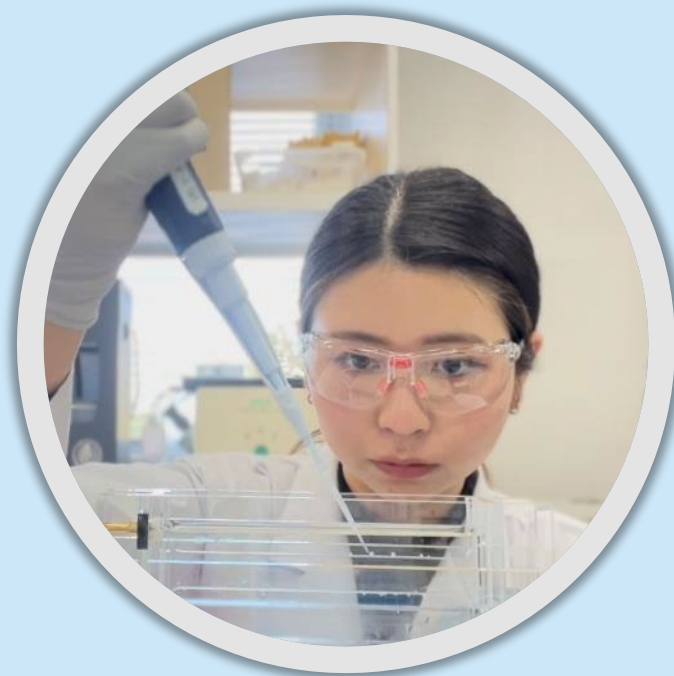
売上マイルストーン



2023年9月末現在

- ↑ 新規契約による収益拡大

(注)取得済総額は、共同研究により取得した収益を含む。マイルストーンは、いずれも既存のプロジェクトが全て成功した場合の最大値を示している
創業の成功確率は相対的に高くはなく、現実的に全てのプロジェクトが成功するわけではない点に十分留意が必要である



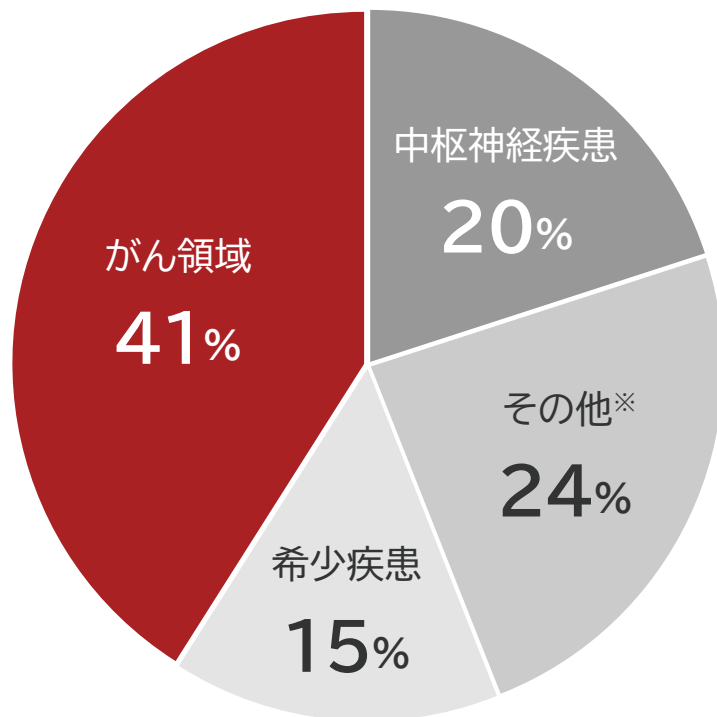
5 創薬プラットフォーム

Drug Discovery Platform

ibVIS®で未だ満たされない医療ニーズに応える

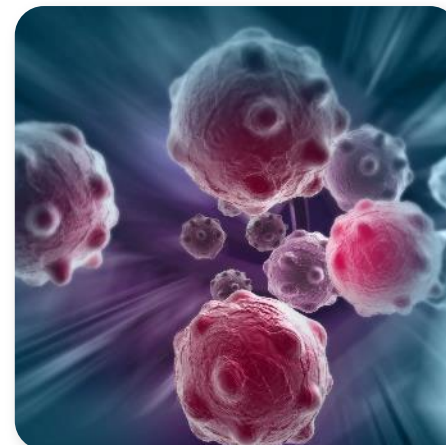
当社の創薬プラットフォームibVIS®を紹介した製薬会社から開示された創薬対象遺伝子(GOI)は100以上で、疾患領域は多種多様である。創薬の専門家から見ても、ibVIS®は様々な疾患に適用可能であることを示唆している。特にがん領域は突出しており、中枢神経疾患がそれに続く

GOIからわかる疾患領域(注)



※ 循環器疾患、免疫疾患、感染症などを含む

(注) 2023年11月末現在において製薬会社から開示されたGOIに基づき当社にて作成



がん領域

がんはメカニズムが多様であり、従来創薬では治療できないがんが多く存在する。患者数が多いため、大量供給可能な低分子新薬の開発が望まれる

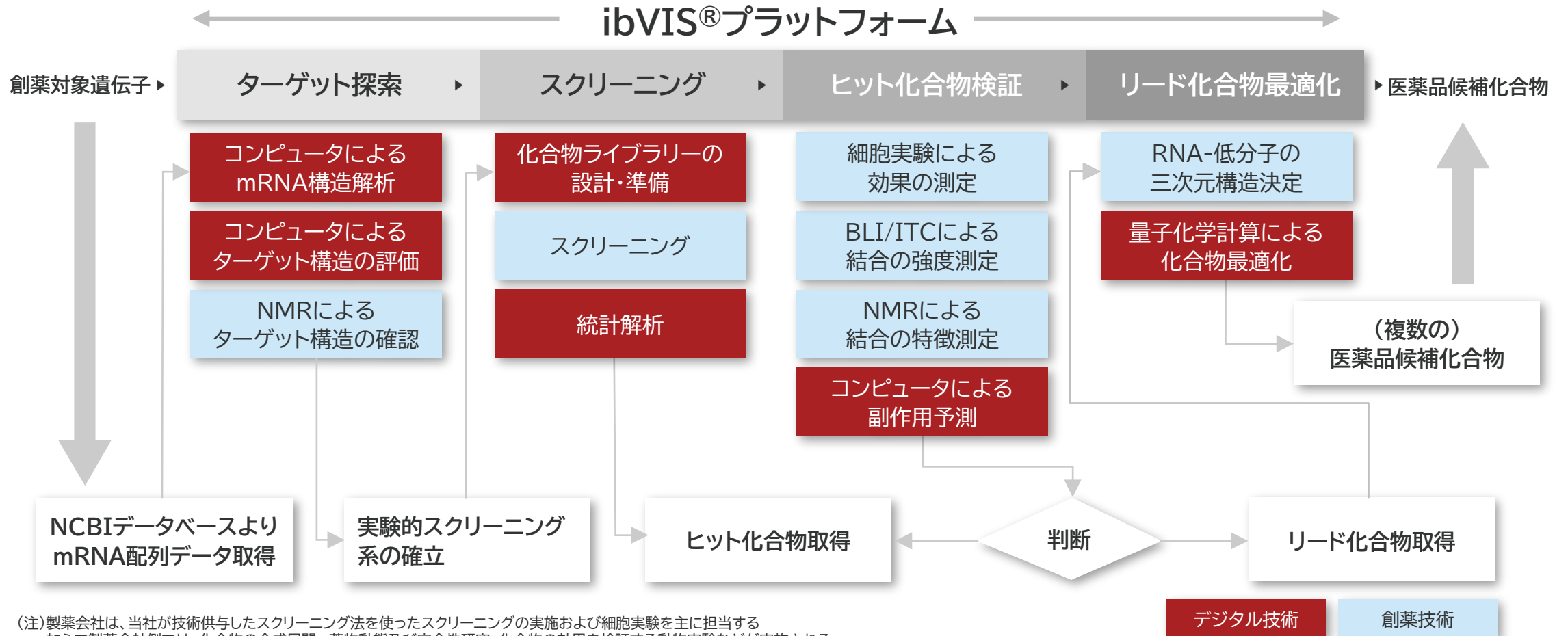


中枢神経疾患

脳(中枢神経)の血液脳関門(BBB)は神経細胞に影響のある物質をブロックする保護システム。中枢神経疾患の治療にはBBBを通過する低分子医薬品が有効

ibVIS[®]は技術検証と実績で裏打ちされたワンストッププラットフォーム

ibVIS[®]は一連の創薬技術とデジタル技術から成り、mRNA配列データから医薬品候補化合物までワンストップで実行可能となっている
既に、ヒット化合物検証までは共同創薬研究等で実績があり、リード化合物最適化の技術については社内研究により実効性があることを証明している



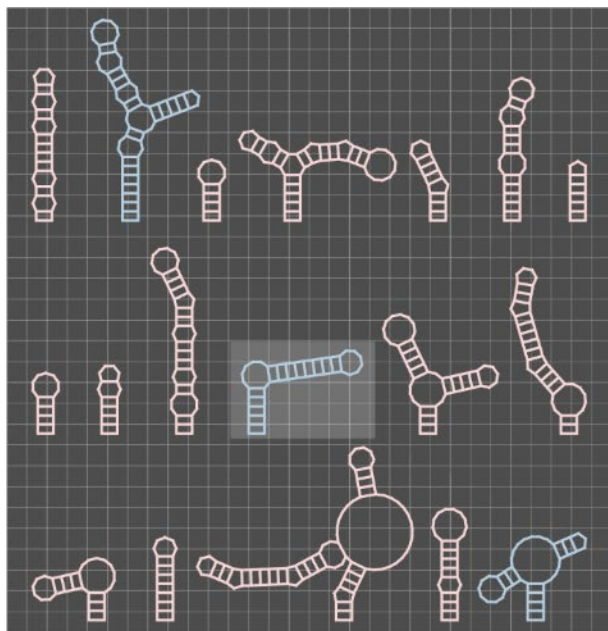
(注) 製薬会社は、当社が技術供与したスクリーニング法を使ったスクリーニングの実施および細胞実験を主に担当する
加えて製薬会社側では、化合物の合成展開、薬物動態及び安全性研究、化合物の効果を検証する動物実験などが実施される

ibVIS®最大の特長

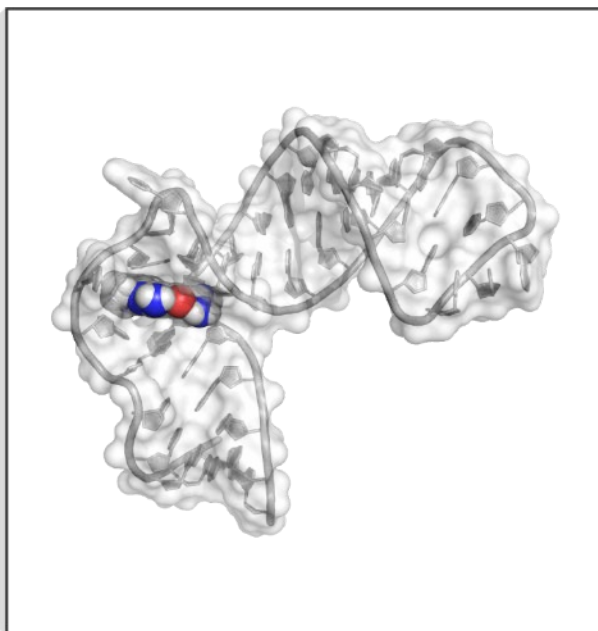
mRNA標的の可能性を最大限引きだすibVIS®のターゲット探索

ibVIS®のターゲット探索は、独自のインシリコ(コンピュータ)RNA構造解析により、製薬会社が任意に選択したmRNAから高速かつ正確に複数の標的(ターゲット構造)を探索することが可能。当社の競争優位性の一つとなっている

インシリコによる mRNA構造解析



低分子化合物の標的となる mRNAターゲット構造



01 高速

mRNA上のターゲット構造を、実験的方法を用いるよりもかなり短時間で発見できる

02 正確

当社のインシリコ技術を使って発見されたターゲット構造の精度は90%以上、一方、他の計算方法では60~70%程度に過ぎない ※当社調べ

03 妥当性の高いターゲット構造

当社が選択するターゲット構造は、低分子創薬に最適な標的であることを確認するために厳格にテストされている

とらえどころのないmRNAの姿を統計力学・熱力学の理論で解き明かす

既存創薬が扱う研究領域は生物学から化学。代表中村の20年にわたる経験と実績に基づき、よりミクロな物理学の理論(統計力学及び熱力学)を既存創薬の研究領域に取り込むことでmRNAの構造を解析し、ターゲット探索を実現可能にした

理論・計算主体 ←

→ 実際・実験主体

VIS創薬

既存創薬

約0.1 nm

数nm-数10 nm

80 nm-0.2 mm

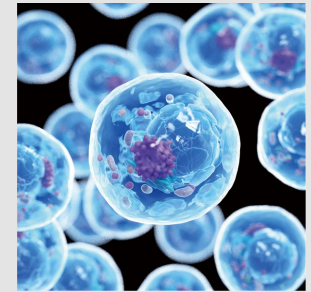
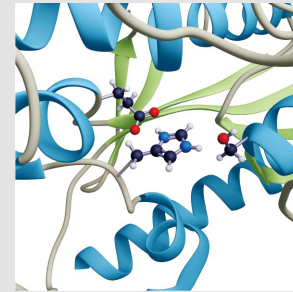
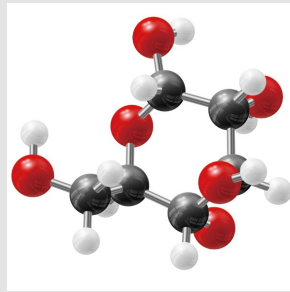
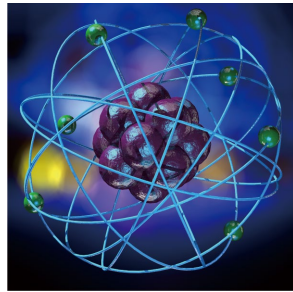
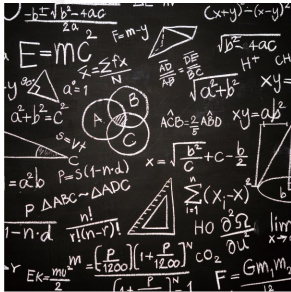
数学 < 量子力学

物理学

化学

分子生物学

生物学



理論

原子

分子

mRNA・タンパク質

細胞

統計力学理論

熱力学理論

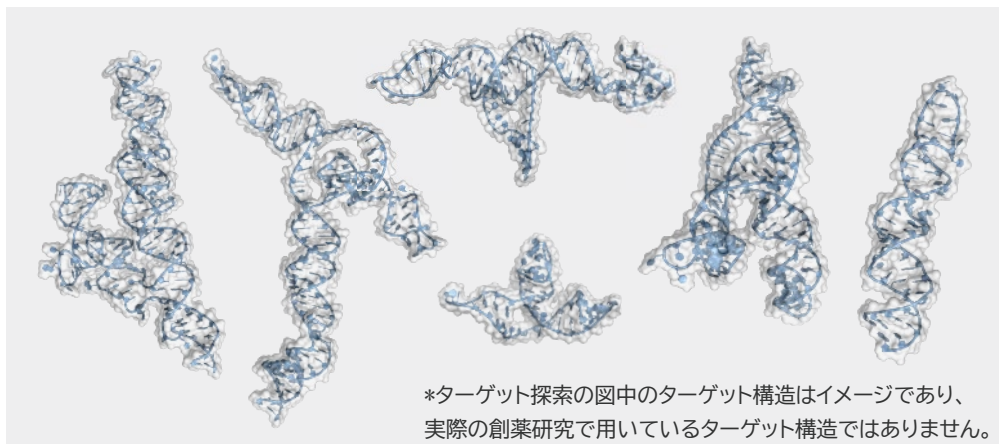
(注) nm = 10⁻⁶ mm

高い達成率が証明するibVIS®のスクリーニング技術

製薬会社10社との共同創薬プロジェクトにおいて、がん、中枢神経疾患、感染症等に対して化合物数 数万～数十万程度のスクリーニングを5年間で約50本実施した mRNA中にターゲット構造を発見し(左図)、ターゲット構造に対するスクリーニングを実施(右図)。結果的に、約95%の成功率でヒット化合物を取得している

2023年11月末現在

ターゲット探索

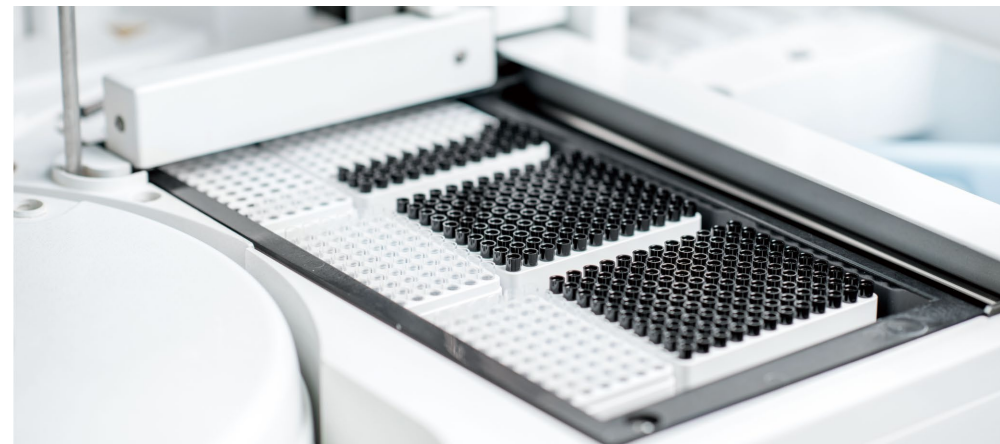


mRNAに対して低分子化合物の標的となる
複数のターゲット構造を発見

達成率 **約97%**(注1)

(注1) 39個中38個のmRNAでターゲット構造を複数同定

スクリーニング



mRNA中のターゲット構造に対して高速・高感度スクリーニング
(qFRET)を実施し、活性を示す複数のヒット化合物を取得

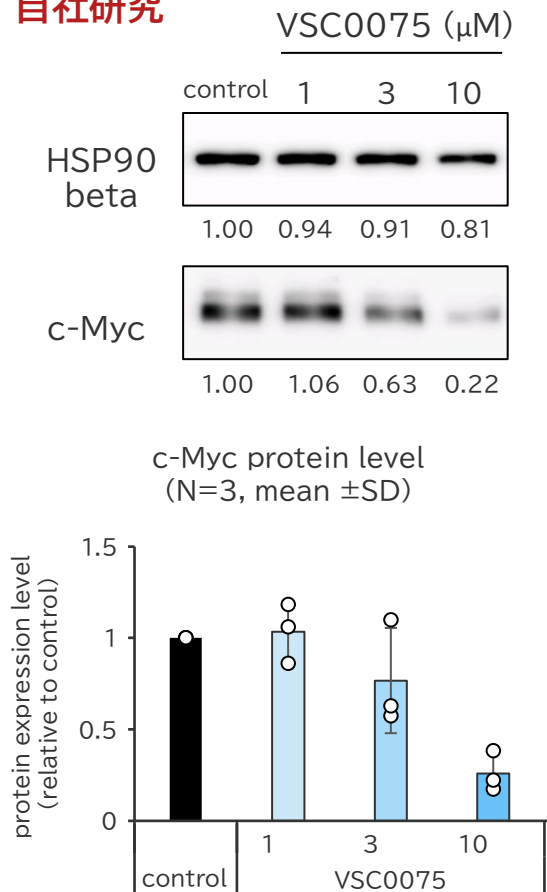
達成率 **約98%**(注2)
(化合物2万以上用いた場合 100%)

(注2) 48個のターゲット構造に対してスクリーニングを実施し、
47スクリーニングで当社が定義するヒット化合物を複数取得

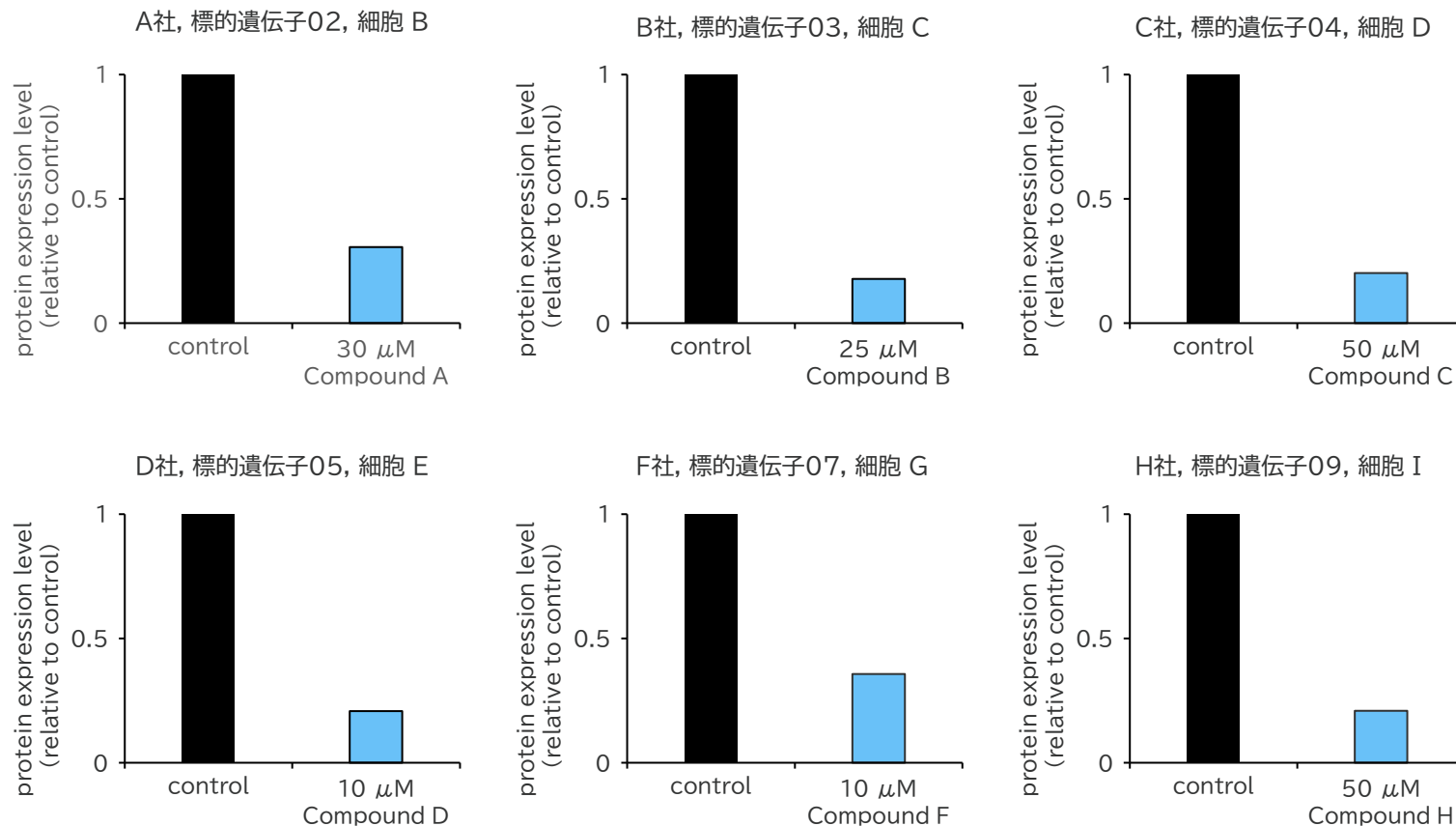
スクリーニングで取得したヒット化合物は「細胞内での効果」を示した

自社研究および製薬会社との共同研究においてスクリーニングで取得したヒット化合物は、化合物がない場合(control)と比較して細胞内で対象とする疾患関連タンパク質の量を減少させた。この細胞内での効果を示したヒット化合物の効果について、各種RNA測定法を使って検証し(P38)、リード化合物最適化に進める

自社研究



製薬会社との共同研究



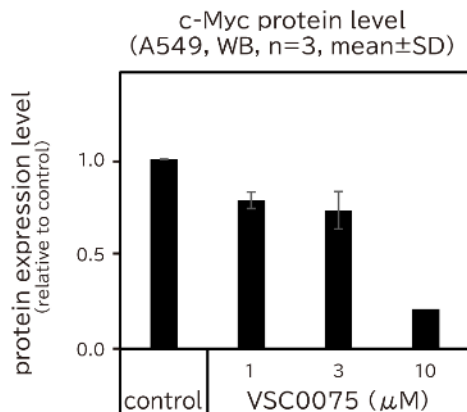
左図:疾患関連タンパク質(c-Myc)のmRNAに発見されるターゲット構造に対してスクリーニングで取得した化合物(VSC0075)を細胞に添加することで、細胞内のc-Mycタンパク質の量が優位に下がっている(一般的なタンパク質の代表であるHSP90 betaにはほとんど影響がない)
 右図:製薬会社のうち6社について、スクリーニングで取得した化合物(Compound A-H)の細胞実験結果をそれぞれ一例ずつ示している

mRNAと化合物の結合状態を詳細に解析する各種RNA測定技術を保有

「細胞内での効果」を示すヒット化合物およびヒット化合物を出発化合物として新たに合成した化合物が、創薬対象であるmRNAのターゲット構造にどのように作用するのか(結合の仕方、結合強度、結合の特徴など)を各種RNA測定技術で解析することにより、医薬品として好ましい特性を示す化合物(リード化合物)を取得する

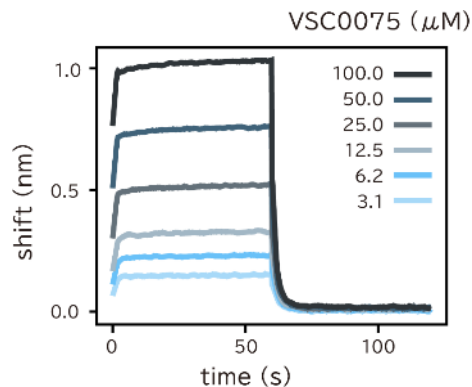
細胞実験

細胞での活性を調べる実験



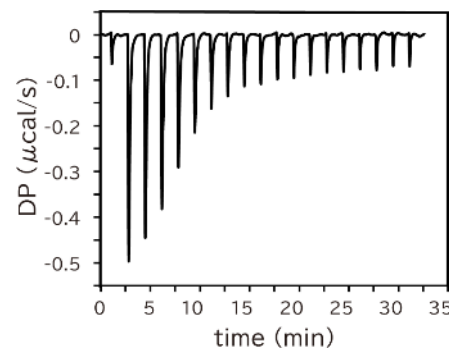
BLI測定

RNAと化合物の結合速度を調べる実験



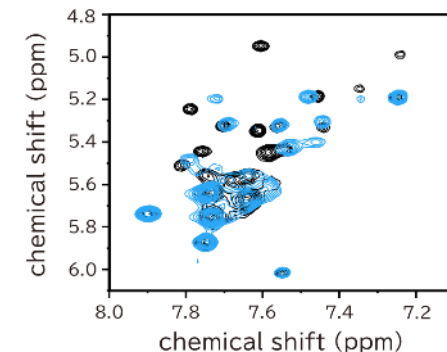
ITC測定

RNAと化合物の結合速度を詳細に調べる実験



NMR測定

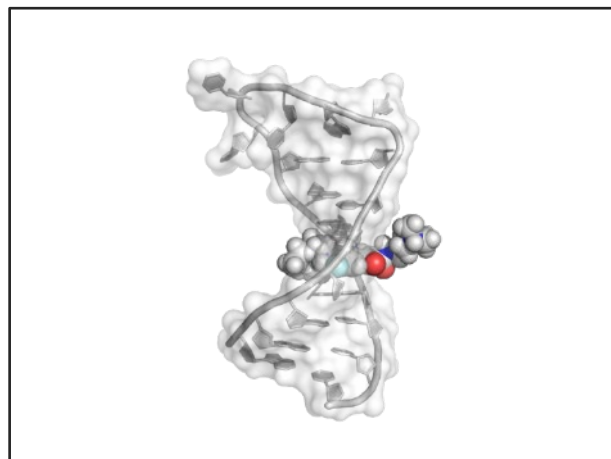
RNAと化合物の結合部位を調べる実験



(注) 各グラフは、各種RNA測定技術の測定結果のイメージ図です

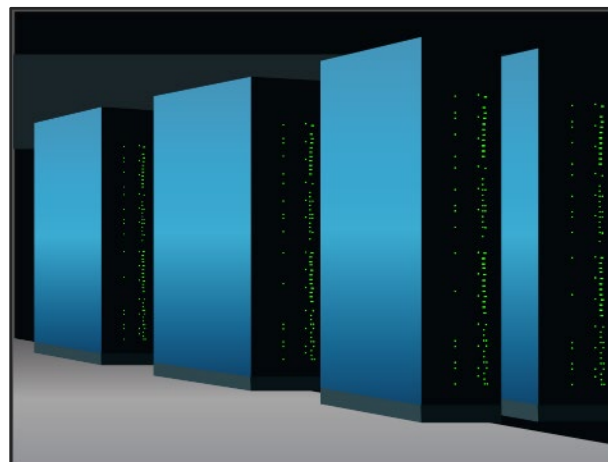
RNA構造の実測技術と最先端のコンピュータ技術を利用した化合物最適化

RNA に特化した
構造解析技術



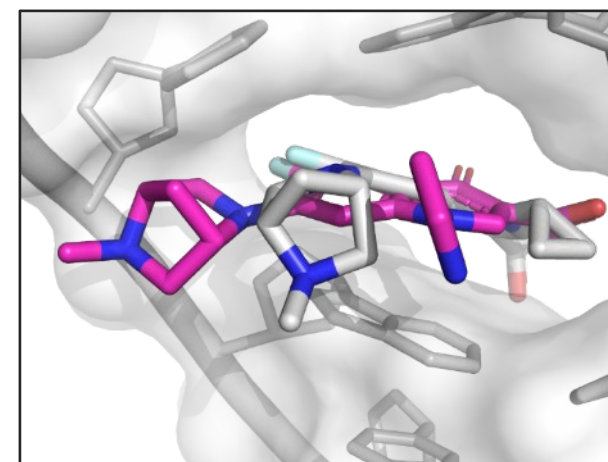
RNAのX線結晶構造解析とNMRという稀有な専門知識を持つサイエンティストにより、当社にはRNAの3次元構造決定を行うための技術が備わっている

mRNA標的-低分子化合物の
相互作用解析技術



日本製の最先端のスパコン「富嶽」を駆使して、mRNA標的と低分子化合物の相互作用を徹底的に解析できる

合理的な
mRNA標的化合物最適化

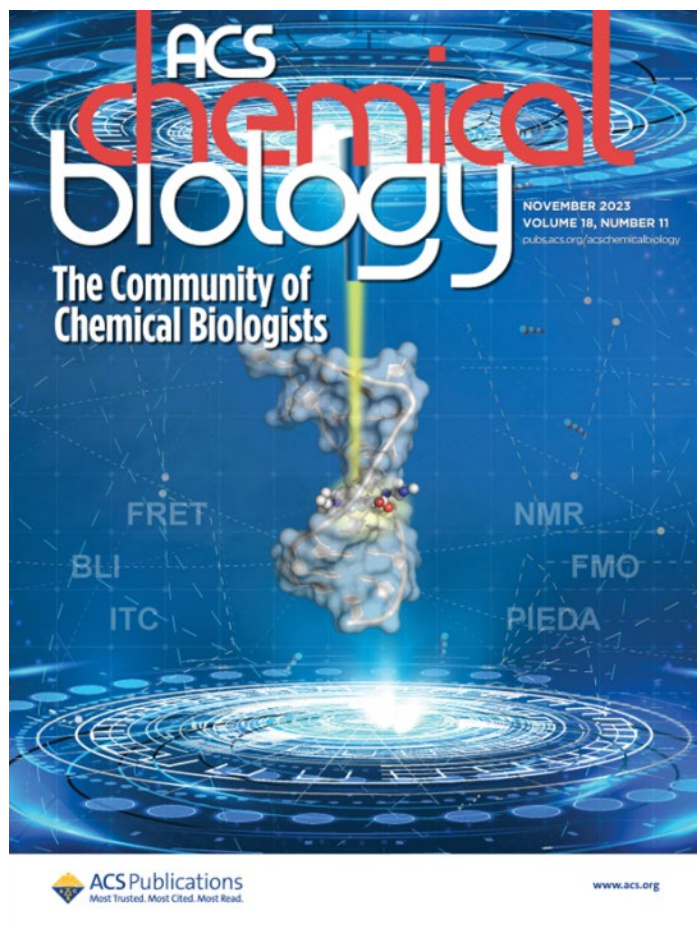


当社の技術は、mRNA標的に対してより高い活性と選択性を持つ低分子化合物を合理的に設計することを可能にする。その結果、従来の方法よりも迅速かつ効率的に低分子化合物を最適化することができる

リード化合物最適化に関する発表

RNA構造により強く結合する新規化合物をコンピュータ技術で設計

当社のリード化合物最適化技術の有用性は、mRNA標的的低分子医薬品の合理的な設計に量子化学計算の一種であるフラグメント分子軌道(FMO)法が有用であることを示した当社の学術論文により実証している。この学術論文は、低分子化合物とRNAの結合の実測値とFMO法による計算値の相関関係を示した世界最初の例である



当社主席研究員・森下のデザインが表紙を飾っている

ACS chemical biology
pubs.acs.org/acscchemicalbiology

Articles

Probing RNA–Small Molecule Interactions Using Biophysical and Computational Approaches
Amiu Shino, Maina Otsu, Koji Imai, Kaori Fukuzawa, and Ella Czarina Morishita*

Cite This: ACS Chem. Biol. 2023, 18, 2368–2376

Read Online

(注) — VISのサイエンティスト

論文掲載結果の一部

スクリーニングで得られた
基点化合物

より高い活性をもつと予測した
新規設計化合物



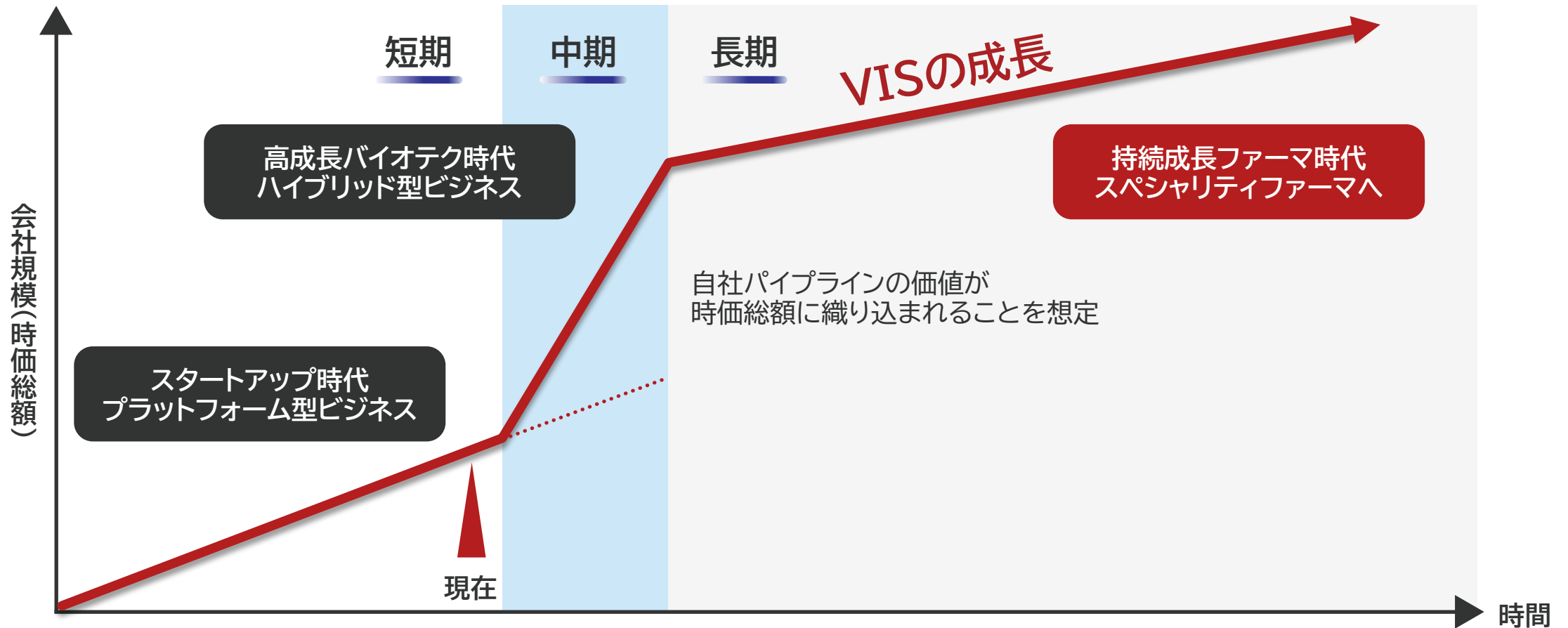
6 成長戦略

Growth Strategy

スタートアップ・バイオテック企業から持続成長可能なスペシャリティファーマへ

当社は、現在のプラットフォーム型ビジネスから高成長を目指すハイブリッド型ビジネスへの転換を図っている

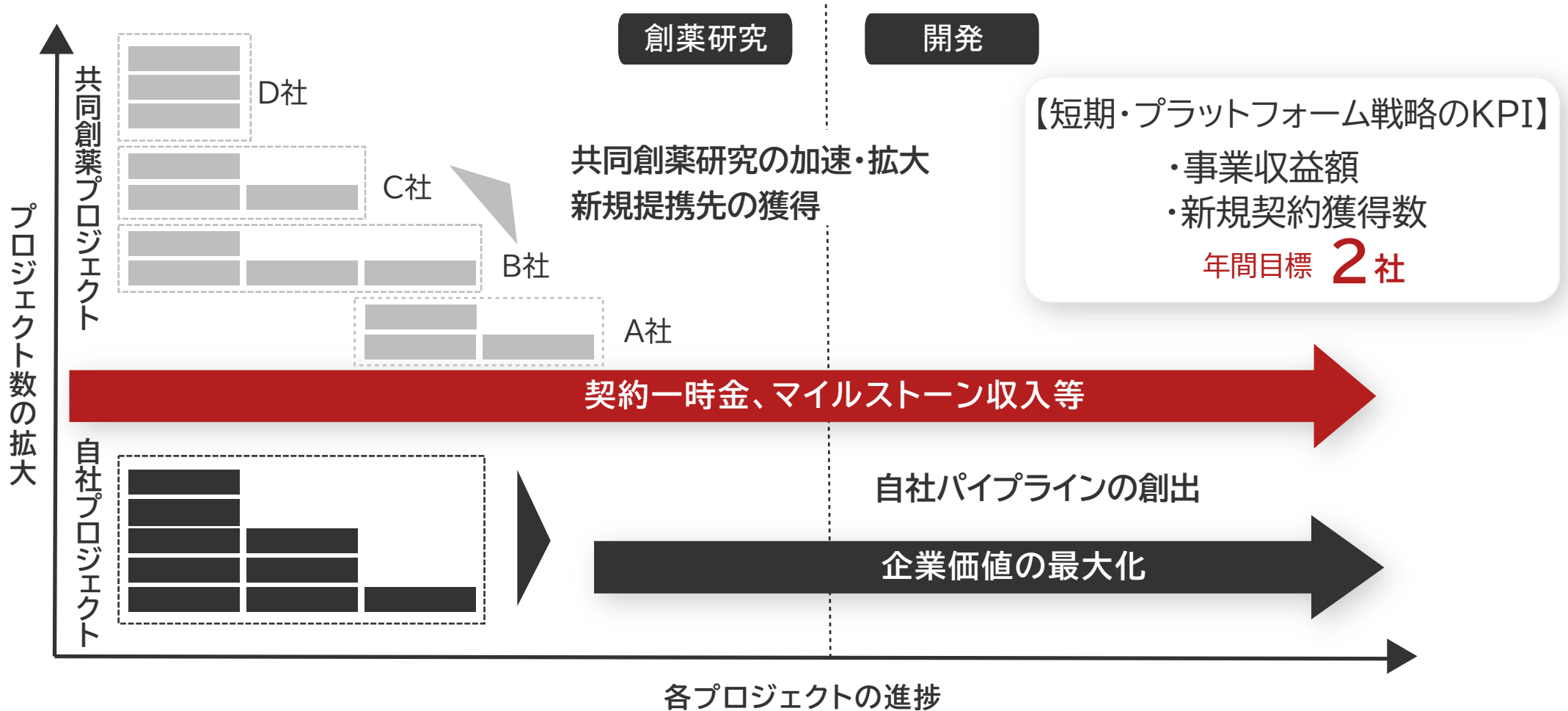
最終的には、持続的な成長を遂げるため、研究開発・販売機能等を備えた製薬会社(スペシャリティファーマ)へ移行する方針である



(注) あくまでも当社が目標とする成長のイメージであり、実際の時価総額の推移を示唆するものではありません

安定した収益の獲得と企業価値最大化(時価総額)の両立を目指す

短期的に、共同創薬プロジェクトを進捗させることで得られるマイルストーン収入等の収益全体および新規の契約獲得数年間2社をKPIとして成長を図る
中期的に、低分子医薬品や核酸医薬品のプロジェクトから自社パイプライン候補を選定のうえ研究を進め、自社パイプラインの創出につなげる方針である



基盤技術の改良と新技術の導入により ibVIS®の優位性を強化

ibVIS®の優位性を維持するため、短期的に更なる技術力の強化を図るとともに、

中期的にハイブリッド型ビジネスに転換する際には、自社パイプラインの創出に必要なインフラ(図中の※印)を整備する

01 ターゲット 探索



計算ソフトウェアの抜本改良

- 新規粒子分布理論の構築
- 生化学的パラメーター刷新

計算リソースの確保・高速化

02 スクリーニング



作用メカニズムに合わせた解析
大規模なスクリーニングの検証
化合物ライブラリーの保有※

03 ヒット化合物 検証



RNA-低分子結合様式の新規
測定法開発

- 新規NMR測定法
- 実験的結合位置測定法

化合物合成施設の設置※

04 リード化合物 最適化



デジタル技術による品質向上

- FMOによるCADD^(注1)
- 第一原理MDによる理論的最適化^(注2)

高活性な低分子医薬の創出

- RIBOTAC^(注3)
- 無細胞系による評価法確立

動物実験施設の設置※

(注1) FMOによるCADDとは、量子化学計算の一種であるフラグメント分子軌道法(FMO)による計算で医薬品を設計する手法(computer-aided drug design: CADD)タンパク質標的の低分子創薬でも用いられる最新の化合物設計手法

(注2) 第一原理MDとは、非常に高いレベルの量子化学計算(第一原理計算)を用いた分子動力学法(molecular dynamics: MD)RNA構造と低分子化合物がどのように動くかシミュレーションすることができ、医薬品を設計する手法(CADD)の精度を飛躍的に上げることが期待される

(注3) RIBOTAC(ribonuclease-targeting chimeras)とは、リボヌクレアーゼ(RNA分解酵素)と結合する化合物と、mRNAに結合する化合物をつないだ融合化合物当社にて取得したmRNA結合化合物の活性が十分でない場合も、RIBOTACによりリボヌクレアーゼを誘導することでmRNAの分解を促進することができる

医療に携わる一企業として世界中の人々の健康と福祉に貢献する

製造コストが低く、患者様への負担も小さい低分子医薬品の創出に真摯に取り組むことで、より多くの患者様の健康と福祉に貢献する
その他、上場会社として社会で果たすべき役割、社内人材の育成等を通じて持続可能な開発目標(SDGs)の達成に努める

事業活動 による取組み

新規の創薬技術で未だ満たされない医療ニーズに応える



創薬パートナーと革新的な医薬品の創出に取り組む



社内人材 に向けた取組み

従業員の活躍支援

- ・ 男性の育児休暇取得
- ・ 育児と仕事の両立支援



スキル向上機会の提供

- ・ 専門知識の提供
- ・ 先端技術習得の機会



社会 に向けた取組み

mRNAに関するアカデミアとの共同研究

大学等教育機関での講義

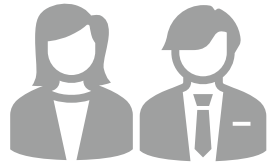


全ての患者様に届けられる低分子医薬品の創出を目指す



公募で調達した資金は持続的成長の原資へ

上場会社として十分な管理部体制を構築しつつ、研究員および事業開発人員の増強により、海外展開を含めたプラットフォーム型ビジネスの拡大に対応する
その他、ハイブリッド型ビジネスへの転換に備え、自社パイプラインの創出に耐えうる研究設備や施設等の準備資金として使用する計画である



人員計画

製薬会社への変革を目指して

- 研究員・事業開発人員の増強
- 上場会社に耐えうる管理体制の増強

4.3億円



研究開発計画

自社パイプラインの創出

- 自社パイプラインの創出準備
- 2026年度に自社パイプラインの前臨床試験を開始予定
- MGCとの事業協力

3.9億円



設備投資計画

自社研究を頑強にするための設備増強・計算能力拡大

- 研究所の拡大・移転
- 計算能力・AIの増強
- 各種自動化
- KDDIとの事業協力

0.4億円



マーケティング計画

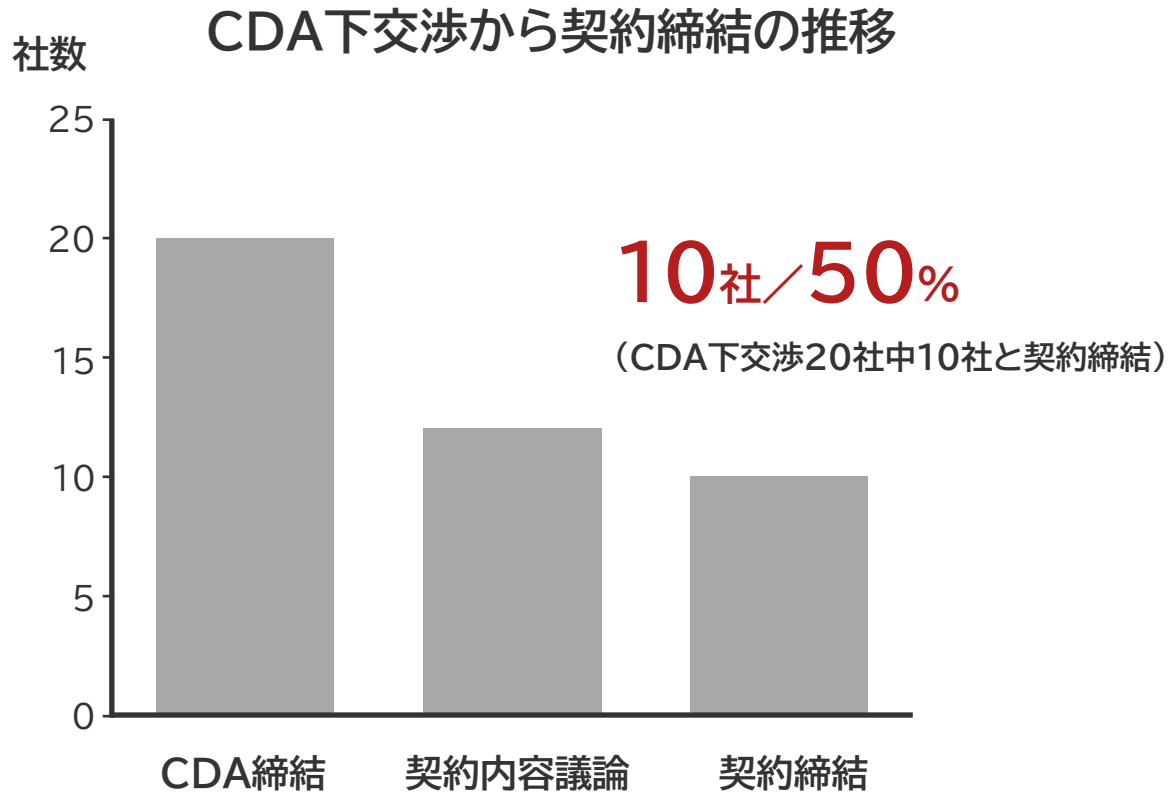
海外進出による創薬パートナーシップ拡大へ

- 海外進出
- 事業開発に直結する研究データの創出
- ODSとの事業協力

0.6億円

年間2社との新規提携に必要なCDA数の確保

秘密保持契約(CDA)を締結した製薬会社のうち、CDA下の交渉の結果契約まで至った確率は50%、CDA締結から契約に至るまでの期間(中央値)は14か月
2024年には、現在有効なCDA締結先から2社との契約締結を目標とする。2025年以降も毎年2社と契約締結するため、その数に見合うCDA数の獲得を目指す



短期施策：海外展開

日本におけるプラットフォーム事業の実績をもとにした海外展開

2023年6月の武田薬品との提携を皮切りに、大手製薬会社や海外製薬会社を創薬パートナーとして獲得してさらなる事業拡大を図る
日本の製薬会社との提携実績に比べ、フランスの薬品開発業務委託会社(CRO)であるOncodesign Services(ODS)との事業協力が海外展開を後押しする



短中期施策：CROとの事業協力

これまでアプローチできなかったODSの顧客層との契約締結を目指す

CROとして確固たる経験・実績・顧客をもつODSは、mRNA標的の低分子創薬を次世代ビジネスと認識している

今後は、顧客紹介など事業開発への協力にくわえ、CROとして製薬会社と当社の共同創薬研究や自社パイプライン創出の取り組みへの事業協力が期待できる



会社名	Oncodesign Services (ODS)
代表者	Fabrice Viviani, President and CEO
設立年	1995年
WEB	https://www.oncodesign-services.com/



Key figures

1995

year created

230

employees incl. 22%
PhD

3

sites

1,000

clients

2023年11月末現在
出典：Oncodesign Services社のウェブサイト

mRNA関連創薬の事業の多角化による持続的成長を目指す

当社のインシリコRNA構造解析は、mRNA関連の様々な創薬に応用可能。中期的にハイブリッド型ビジネスに転換する際には、低分子・核酸医薬品を自社パイプラインの有力候補とする。これらに加え、アカデミア・企業との共同研究等を通じてmRNA医薬品とncRNA標的医薬品を事業の一つとすることで長期的な事業の多角化を図る



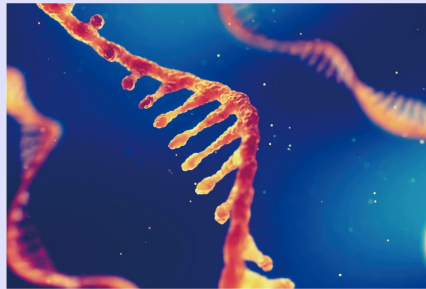
01



mRNA標的的低分子医薬品

タンパク質標的の低分子創薬では技術的に解決できない治療ニーズや、抗体等、高価な治療法しかない治療ニーズへの解決策となる

02



核酸医薬品(mRNA標的)

副作用が少なく細胞膜透過性の高いシンプルな核酸医薬を創出する希少疾患の治療ニーズへの解決策となる

03



mRNA医薬品

医療用のmRNAの配列を設計するタンパク質補充療法に代わる治療ニーズへの解決策となる

04



ncRNA標的医薬品

タンパク質の設計図ではないRNA(ncRNA)を制御する低分子医薬品・核酸医薬品を創出する

将来の企業価値最大化を支える低分子医薬品の自社プロジェクト

医療ニーズの高いがん領域を中心に、将来のハイブリッド型ビジネスの基礎となる低分子医薬品の自社プロジェクトを準備している(注1)(注2)

ビジネスモデルを転換する際には、医薬品1品目あたり年間200億円以上の売上を見込めるプロジェクトを、自社パイプラインの候補に選定する方針である

ターゲット探索 ▶

スクリーニング ▶

ヒット化合物検証 ▶

リード化合物最適化

がん領域

リンパ腫 (遺伝子: c-Myc)

前立腺がん (遺伝子: AR)

各種がん (遺伝子: STAT3)

各種がん

各種がん

各種がん

中枢神経系

疼痛疾患

希少疾患系

循環器疾患

筋疾患

(注1) 現時点(2023年11月末現在)、進捗しているプロジェクトはありません

(注2) これらのプロジェクトは、製薬会社との共同創薬プロジェクトを当社の自社プロジェクトとして譲り受けたものです

自社プロジェクトとして再開する際には、事業の自由度を確保するために、改めてスクリーニングから実施する必要があります

将来の事業安定を支える核酸医薬品およびその他自社プロジェクト

希少疾患を中心に、将来のハイブリッド型ビジネスの基礎となる核酸医薬品の自社プロジェクトを保有。核酸医薬品は創薬研究期間が当社では最短8か月と短いため、新規プロジェクトも有力な自社パイプライン候補である。mRNA医薬品とncRNA標的医薬品のプロジェクトは、現在基礎研究(ターゲット探索)を実施中である



(注) 特許6934695号 核酸医薬とその使用



7 財務ハイライト

Financial Highlights

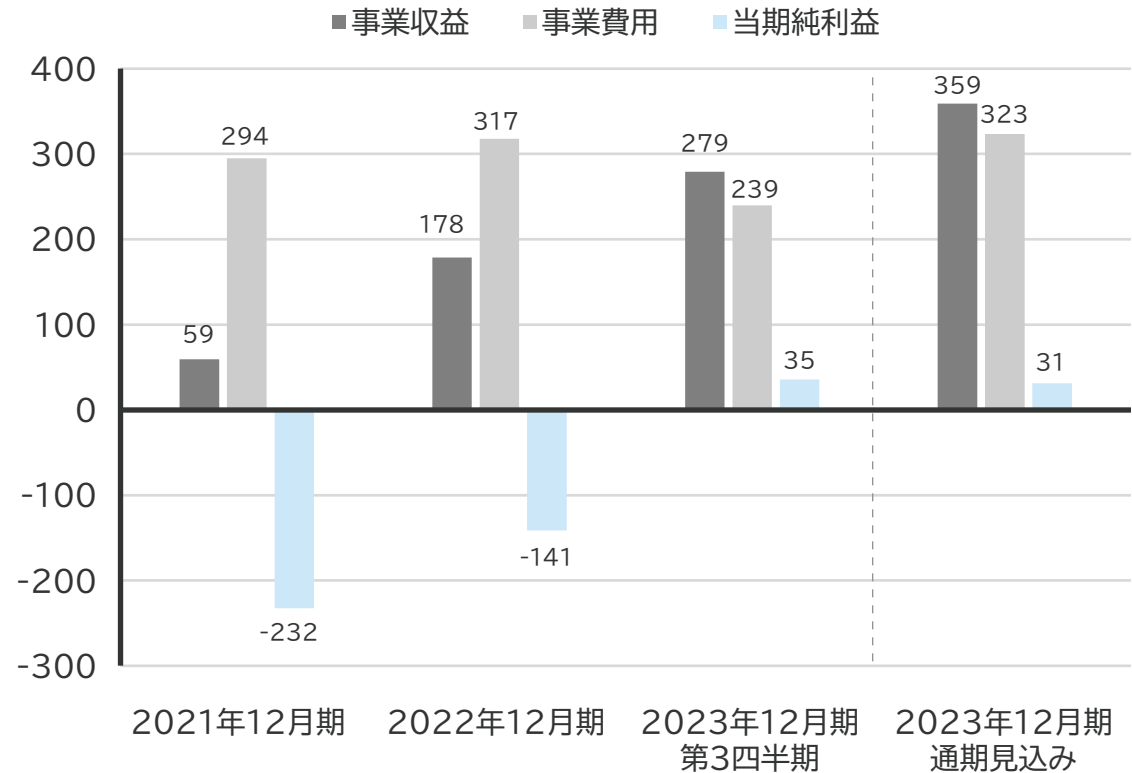
安定財源の確保と当期の黒字化達成(見込み)

過年度の事業費用は固定費が約2/3を占め、プラットフォーム型ビジネスにより固定費、変動費ともにほぼ一定であった。一方、近年の大型契約締結による事業収益の増加により、2023年12月期は黒字化達成の見込みである。2024年からの中期経営計画期間は、人員の増強による固定費と自社パイプライン創出に向けた追加研究費の増大を見込んでいるが、プラットフォーム事業における提携先の拡大等により2024年以降も黒字の継続を目指す

貸借対照表(単位:百万円)

	2021/12期	2022/12期
現金及び預金	1,688	1,484
流動資産合計	1,728	1,547
有形固定資産	20	47
固定資産合計	25	51
資産合計	1,754	1,598
負債合計	70	55
資本金	790	90
純資産合計	1,683	1,542
負債純資産合計	1,754	1,598

各期の事業収益・事業費用・当期純利益(単位:百万円)



(注) 2022年12月期ベースの事業費用の内訳 ①研究開発費が148百万円 ②販管費が169百万円
研究開発費用のうち固定費(人件費、地代家賃、減価償却費等)は99百万円、
販管費のうち同固定費は118百万円であり、事業費用全体の約2/3は固定費で構成される

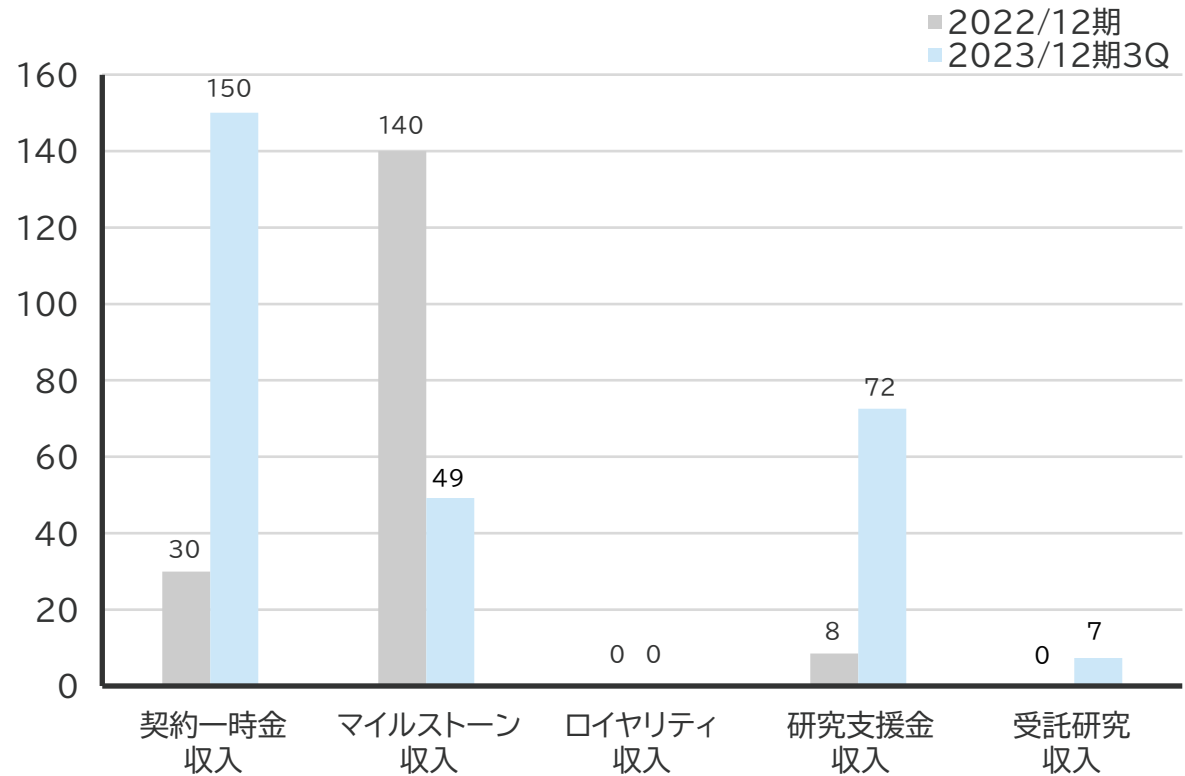
事業収益の内訳(2022/12期および2023/12期第3四半期)

2023年12月期は第3四半期までに過去最高の契約一時金収入を達成した

事業収益の内訳 (単位:千円)

項目	2022/12期	2023/12期3Q
顧客との契約から生じる収益	178,500	279,166
契約一時金収入	30,000	150,000
マイルストーン収入	140,000	49,200
ロイヤリティ収入	—	—
研究支援金収入	8,500	72,566
受託研究収入	—	7,400
その他の収益	301	85
外部顧客への売上高	178,801	279,251

顧客との契約から生じる収益の分解情報 (単位:百万円)





8

事業等のリスク

Risks of Business

事業遂行上の重要なリスクと対応策

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです
その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
<p>研究開発の不確実性に関する事項</p> <p>当社はプラットフォーム型ビジネスモデルのため、研究開発の進行が自社のみではコントロールできず、提携先の方針等によって左右される点、現時点でリード化合物最適化までの創薬研究プロセスを完遂した実績がない点がリスクとして挙げられます。これらの研究開発の不確実性が当社の財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:高	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
<p>製薬会社との共同創薬研究契約に関する事項</p> <p>各パートナーにおける経営環境の変化や経営方針の変更など当社が制御し得ない要因によって当該契約が解除された場合、研究が中断・中止・遅延となった場合、相手先の事情により共同創薬研究契約が締結できなかった場合も想定され、その場合には当社の事業戦略や事業計画が変更となり、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:小	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
<p>同業他社との競争に関する事項</p> <p>当社の創薬プラットフォームは、mRNA標的的低分子創薬に必要な技術群をワンストップで提供し、特にターゲット探索に強みがありますが、競争する他社技術の発生により、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:中	当社は引き続き、新技術の開発等を通じて創薬プラットフォームの技術力強化に努めます。

事業遂行上の重要なリスクと対応策

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです
その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
<p>知的財産権の出願・取得について 当社は事業運営上必要な特許権等の知的財産権の出願・取得を進めておりますが、現在出願中の全ての知的財産が登録査定を受けられるとは限りません。また、登録後も異議申立てや無効審判請求により、権利の一部又は全てが無効化されるなどの可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:小	当社は専門分野の弁理士・弁護士と連携し、リスクの軽減に努めております。
<p>mRNA標的low分子医薬品市場の成長可能性に関する事項 創薬標的がmRNAであることによる毒性リスクなどが顕在化したり、mRNA標的low分子医薬品以外の有力な次世代創薬の開発等による医薬品市場におけるmRNA標的low分子医薬品の位置づけが変化したりすることにより、想定どおりにmRNA標的low分子医薬品市場が拡大しなかった場合や、共同創薬研究に係る提携先が想定どおりに見つからなかった場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:小	当社は当該市場が引き続き成長すると見込んでおり、今後も継続的に業界動向の情報収集に努め、経営環境の変化に応じた事業運営を行う方針です。
<p>資金繰りに関する事項 当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針ですが、適切な時期に資金調達ができない場合及び投資に比べ収益が小さい場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。</p>	発生可能性:小 影響度:小	当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針です。



Appendix

用語解説①

用語	解説
医薬品候補化合物	医薬品候補化合物は、リード化合物を化学合成によりさらに改善したものであり、当社の創薬研究ステップの最終成果物である。医薬品候補化合物は、動物等を用いた非臨床試験にて、その有効性と安全性を国際的な基準の下で確認した後、最終的に、ヒトを対象とした試験(臨床試験)に用いられる。臨床試験の結果を規制当局に申請後、審査を経て承認されると医薬品となる。
インシリコ	インシリコ(in silico)は、生物学でいうin vivo(生体内)やin vitro(試験管内)とのアナロジーであり、「コンピュータを用いて」を意味する。すなわち、コンピュータを使った計算により、ゲノムをはじめとした生体分子の構造などを数値化し、生理的な条件を踏まえて研究することを指す。
核酸医薬品	DNAやRNAといった遺伝情報を司る物質「核酸」そのものを利用した医薬品であり、従来のタンパク質を標的とする低分子医薬品や抗体医薬品では狙えないmRNA等を創薬標的とすることができる。分子量は低分子医薬品と抗体医薬品の中間にあたり、中分子医薬品とも呼ばれる。商業製造法が確立途中であるため、製造コストは、高額と言われる抗体医薬品よりもさらに高額となる。また抗体医薬品と同様に、主に注射により投与される。
研究開発	医薬品の研究開発とは、新しい医薬品を市場に投入するまれの一連のプロセスをいう。そのうち、研究(創薬研究、基礎研究)は、当社がibVIS®プラットフォームにより技術提供が可能な「ターゲット探索」「スクリーニング」「ヒット化合物検証」「リード化合物最適化」に至る医薬品候補化合物を取得するまでのプロセスであり、開発は、医薬品候補化合物取得後の非臨床試験、臨床試験に加え、承認申請及び規制当局の承認を含む非臨床試験以降の全てのプロセスである。
合成展開	低分子医薬品の創出を目的として、低分子化合物を多数合成していくことをいう。具体的には、スクリーニングでヒットした低分子化合物等を基点に、目的(活性の向上、薬物動態、毒性の低減等)に合うように新たに構造が類似した低分子化合物を多数設計し、有機化学的に合成して用意する。この新たに用意された低分子化合物に対し各種の試験を行い、より目的にかなう低分子化合物選択し、その化合物を基点として合成展開は続けられる。このサイクルは、低分子医薬品として十分なプロファイルを持つ化合物が得られるまで続けられる。
抗体医薬品	体内に「抗体」を投与することで治療効果を得ようとする医薬品の総称。標的分子にピンポイントで作用させることができるため、高い治療効果と副作用の軽減が期待できる。一方、抗体医薬品は製造工程が複雑で品質の管理が難しいため、製造コストが高く、薬価が高額となる。また核酸医薬品と同様に、現在は注射によってのみ投与されている。
スクリーニング	多数の化合物群(一般的に、数万種類以上の化合物からなるライブラリー)から、特定の条件を満たす化合物を選択するための実験方法のこと。
低分子医薬品	一般的に分子量が500以下の医薬品。飲み薬や貼付薬など様々な投与方法に展開することが可能である。また製造は化学合成によるため、品質の管理が容易であり、また商業製造法が確立されているため、抗体医薬や核酸医薬品等と比べて極めて安価である。そのため最も一般的に流通し、医薬品市場の約半分を占めている。
統計力学	統計物理学ともいう。物質を構成する多数の粒子の運動に力学法則及び電磁法則と確率論とを適用し、物質の巨視的な性質を統計平均的な法則によって論じる物理学の分野。当社は、RNAの構造解析にこれら統計力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学	熱力学とは、巨視的な立場から物質の熱的性質を研究する物理学の一分野であり、系全体のマクロな性質を扱う理論である。複雑な系である生物学には当てはまらないとされることが多い。当社は、RNAの構造解析にこれら熱力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学的測定法	熱力学的測定法は、等温滴定型熱量測定 (Isothermal Titration Calorimetry; ITC)等により、結合分子を標的分子に滴下した際に起こる化学反応もしくは結合反応を観測する測定法。物質同士が結合する際には熱の発生もしくは吸収が起こるため、熱量変化を観測することにより、物質同士の結合を定量的に解析することができる。
パイプライン	非臨床試験・臨床試験など開発段階にある医薬品候補化合物(新薬候補)を当社ではパイプラインと呼び、非臨床前の創薬研究段階のプロジェクトと区別している。
ヒット化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、ヒット化合物は、創薬の初期のスクリーニングで発見された活性化合物のことを示す。

用語	解説
分光学的手法	物理的観測量の強度を周波数、エネルギー、時間などの関数として示すスペクトル(測定結果の成分を、量の大小によって並べて、解析しやすくしたもの)を得ることで、対象物の定量あるいは物性を調べる研究手法である。日本語では「光」という漢字を使うが、必ずしも光を用いる測定法のみが分光学的手法ではない。
リード化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、リード化合物は、ヒット化合物の次の段階の化合物であり、ヒット化合物を基礎に化学合成により手が加えられ、その活性が動物などで確認される等、ヒット化合物より良好な物性を示す化合物のこと。さらに、活性、溶解度などの物性、毒性、飲み薬にした場合に化合物が吸収されるかなど(薬物動態)の点を化学合成によりさらに改善する基礎になる化合物。ただし、その基準は各製薬会社でさまざまである。
リボソーム	数本のRNA分子と50種類ほどのタンパク質で構成される巨大なRNAとタンパク質の複合体。大小2つの部分に分かれており、それぞれ 50Sサブユニット、30Sサブユニットと呼ばれる。あらゆる生物の細胞内に存在し、mRNAに転写された遺伝情報を読み取ってタンパク質を合成(翻訳)する機構として機能する。
量子化学	理論化学(物理化学)の一分野。主として分子や原子、あるいはそれを構成する電子などの振る舞いを、シュレディンガー方程式といった根源的な理論にもとづく数値計算によって解くことにより、分子構造や物性あるいは反応性を理論的に探究する学問分野である。
ASO	核酸医薬品のカテゴリーの一つ。mRNAに結合して主にタンパク質の合成(翻訳)を制御する働きを持つ。ASOに安定性や機能などを追加することを目的として、様々な化学的な修飾を導入することができる。
BLI	BLI(Bio-Layer Interferometry; バイオレイヤー干渉法)。熱力学的測定法の一つ。核磁気共鳴センサーチップ上に固定した生体分子と、溶液中の分子の相互作用を測定する装置。当社では、構造をとったRNAをセンサーチップ上に固定し、スクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物を流して、両者間の相互作用を測定することに使用している。高速に測定できるほか、ごく微量でも測定可能であることが特徴。
DNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子)のうち、糖の部分がデオキシリボースからなる物質であり、デオキシリボ核酸とも呼ばれる。地球上のほぼ全ての生物において遺伝情報の継承を担う生体高分子である。
ITC	ITC(Isothermal Titration Calorimetry; 等温滴定型熱量測定)。熱力学的測定法の一つ。分子同士が結合する時に発生する微小な熱量変化を計測し、相互作用解析に用いる装置。当社では、RNAとスクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物との相互作用を測定することに使用している。一般的に、得られる相互作用の数値は他の手法よりも正確だといわれるが、測定に時間がかかり、多くの試料を要するというデメリットがある。
mRNA	遺伝情報であるDNA配列を写しとって、タンパク質合成のために情報を伝達するRNA。mRNAは、細胞内でタンパク質が合成される際的设计図であり、各タンパク質に対応してそれぞれ個別のmRNAが存在する。
NCBI	NCBI(National Center for Biotechnology Information; 国立バイオテクノロジー情報センター)。米国国立衛生研究所の下の国立医学図書館の一部門として設立された公的機関。最も信用のおける遺伝子情報等のデータが蓄積されているため、当社では、使用するmRNAの塩基配列情報を主としてNCBIデータベースより取得している。
NMR	核磁気共鳴(Nuclear Magnetic Resonance)。分光学的測定法の一つ。磁場を与えられた状態の原子核に外部から電磁波を照射し、特定の電磁波を吸収する現象(共鳴現象)を観測することで、物質の構造的情報などを取得する方法。当社では、RNAの二次構造情報の取得に加え、ヒット化合物等の低分子化合物がRNAに結合する様子や、RNAの三次元構造の解析にも使用している。
qFRET	qFRET(Quantitative Fluorescence Energy Transfer; 定量的蛍光共鳴エネルギー移動法)。当社独自の実験プロトコル、実験機器、データ解析手法を統合することにより、蛍光共鳴エネルギー移動法に定量性を持たせた研究手法。
RNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子。DNAも核酸の一種)のうち、糖の部分がリボースからなる物質であり、リボ核酸とも呼ばれる。生体内において、遺伝情報の伝達など多くの生命現象にかかわっている。遺伝情報を伝達するメッセンジャーRNA(mRNA)、タンパク質の原料であるアミノ酸を運ぶ機能を担う転移RNA(tRNA)、リボソームを構成するリボソームRNAなどに分類される。

免責事項

本資料は、株式会社Veritas In Silico(以下「当社」といいます。)の会社情報の説明のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国その他の一切の法域における有価証券の買付け又は売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。日本国、米国その他の法域において、適用法令に基づく登録若しくは届出又はこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集又は販売を行うことはできません。

本資料の作成にあたり、当社は当社がその作成時点において入手可能な情報の真実性、正確性及び完全性に依拠し、かつ前提としており、将来情報、外部データ等については、その真実性、正確性及び完全性について、当社は何ら表明及び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。

将来の事業内容や業績等に関して本資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。将来予想に関する記述には、「目指す」、「予測する」、「想定する」、「確信する」、「継続する」、「試みる」、「見積もる」、「予期する」、「施策」、「意図する」、「企図する」、「可能性がある」、「計画」、「潜在的な」、「蓋然性」、「企画」、「リスク」、「追求する」、「はずである」、「努力する」、「目標とする」、「予定である」又は将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他の類似した表現を含みます。将来予想に関する記述は、本資料作成時点において入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいて作成しており、これらの記述の中には、様々なリスクや不確定要素が内在します。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の将来における事業内容や業績等が、将来に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なることとなる可能性があります。したがって、将来予想に関する記述に依拠することのないようご注意ください。

なお、本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。