

**Veritas In Silico**

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs

# 2024年12月期 第3四半期 決算説明資料

株式会社Veritas In Silico

証券コード: 130A

2024年11月13日



## 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。

## 2024年12月期 第3四半期ハイライト

### mRNA標的的低分子創薬事業(プラットフォーム型ビジネス)は順調に推移

創薬プラットフォームibVIS®を活用し製薬会社4社との共同創薬研究を実施中。当中間期には、マイルストーン達成や、目標とする特性を細胞レベルで示す低分子化合物を複数取得する等の成果を得た

### ハイブリッド型ビジネスの転換に向けて自社パイプラインを創出できる体制を整備中

かねてより進めていた当社独自の核酸医薬品の研究を再開  
核酸医薬品および低分子医薬品のパイプラインの事業化に向けて取り組み中

### 第3四半期累計期間の事業収益は165百万円、純損失は145百万円

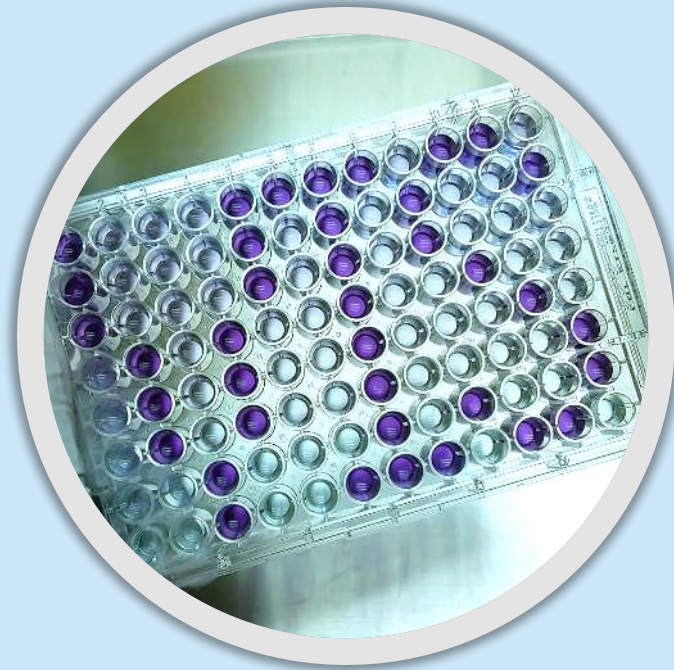
事業収益は、研究支援金、マイルストーン収入等により165百万円を計上  
事業費用286百万円、上場関連費用12百万円等の発生があり、四半期純損失は145百万円

### 2024年12月期業績予想は変更せず

2024年12月期の業績見通しについては、2024年2月公表の内容より変更せず  
最終四半期のマイルストーン達成や新規契約獲得等による収益確保を目指す

# Contents

- 1 事業ハイライト
- 2 財務ハイライト
- 3 事業概要
- 4 ビジネスモデル
- 5 成長戦略

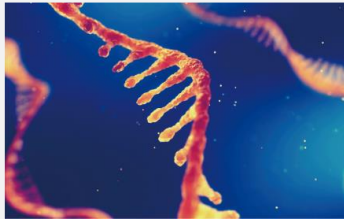


# 1 事業ハイライト

Business Highlights

# 2024年12月期 第3四半期までの事業ハイライト

▼3月



## 核酸医薬品の自社 パイプライン創出に 向けた取り組み

三菱ガス化学との共同研究に先行して、より効率よく活性の高い核酸医薬品を取得するための自社研究を開始

→スライドNo.28-31へ

▼6月



## マイルストーン達成

複数の疾患を対象とした mRNA 標的的低分子医薬品の創出を目的とした武田薬品との共同創薬研究において、研究段階における最初のマイルストーンを達成

▼6月



## 化合物探索が順調 に進展

がん治療薬の創出を志向するラクオリア創薬との共同創薬プロジェクトにおいて、細胞実験で目標とするプロファイルを示す複数の低分子化合物を取得

→スライドNo.8へ

▼9月



## マイルストーン達成

感染症及び精神・神経系疾患に関連する複数の遺伝子を対象とした mRNA 標的的低分子医薬品の創出を目指す塩野義製薬との共同創薬研究において、創薬研究進捗に伴うマイルストーンを達成

# ラクオリア創薬との共同創薬研究において化合物探索が順調に進捗

がん治療薬の創出を志向するラクオリア創薬との共同創薬プロジェクトにおいて、互いの技術力の強みを活かし、細胞実験において目標とするプロファイルを示す複数の低分子化合物を取得した

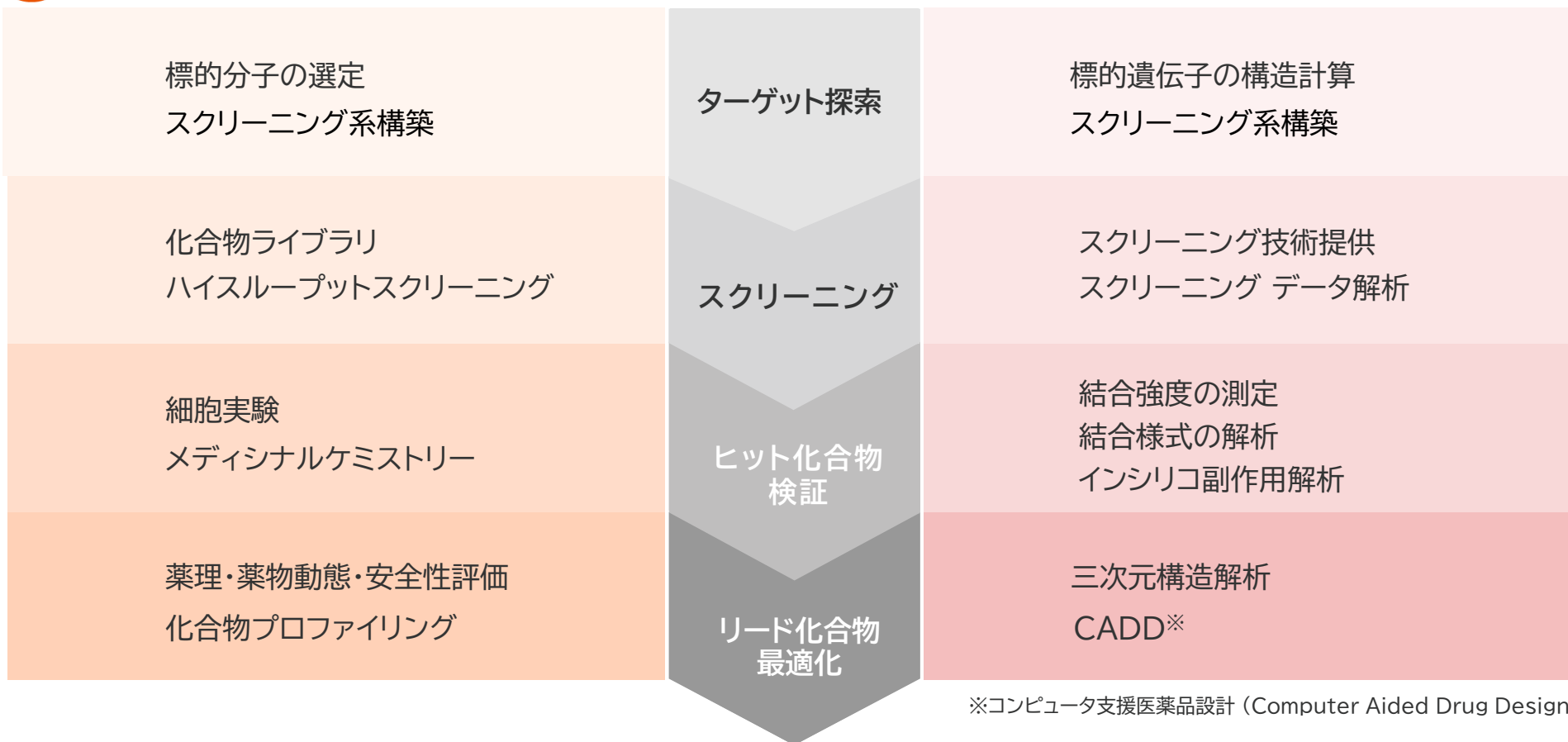


低分子創薬技術








Veritas In Silico

mRNA標的的低分子創薬  
プラットフォーム



※コンピュータ支援医薬品設計 (Computer Aided Drug Design)

# 各製薬会社との共同創薬事業において実績が積み上がっている

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7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"> <li>・ 契約金非開示</li> <li>・ VIS化合物持分あり<sup>(注)</sup></li> </ul>
	2021年11月	感染症 精神・神経系疾患		<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 契約金最大850億円</li> <li>・ ロイヤリティあり</li> <li>・ Q3マイルストーン達成</li> </ul>
	2022年12月	がん領域		<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 契約金非開示</li> <li>・ ロイヤリティあり</li> <li>・ 細胞で目標プロファイル達成</li> </ul>
	2023年6月	非開示		<ul style="list-style-type: none"> <li>・ 契約金非開示</li> <li>・ ロイヤリティあり</li> <li>・ Q2マイルストーン達成</li> </ul>

(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



# プラットフォーム型ビジネスの収益ポテンシャル

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)に販売額に応じたマイルストーン収入のほか、数%のロイヤリティ収入(下図に含まれない)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~2024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



2024年9月末現在

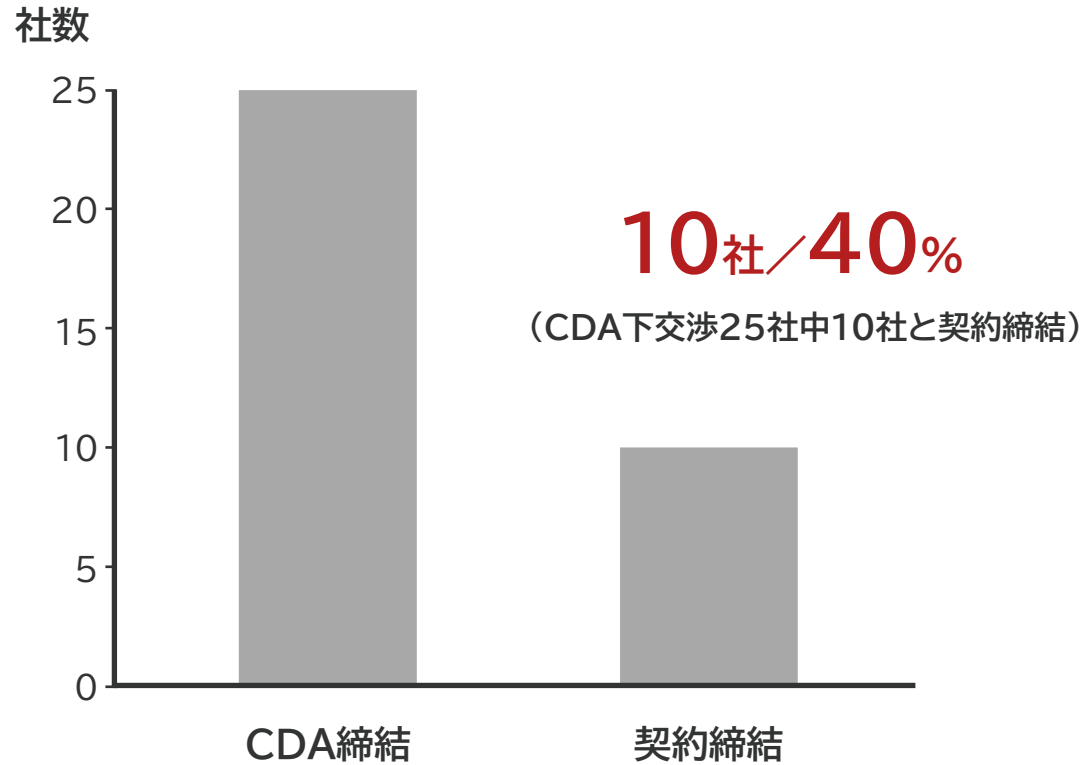
➤ 新規契約による収益拡大

(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

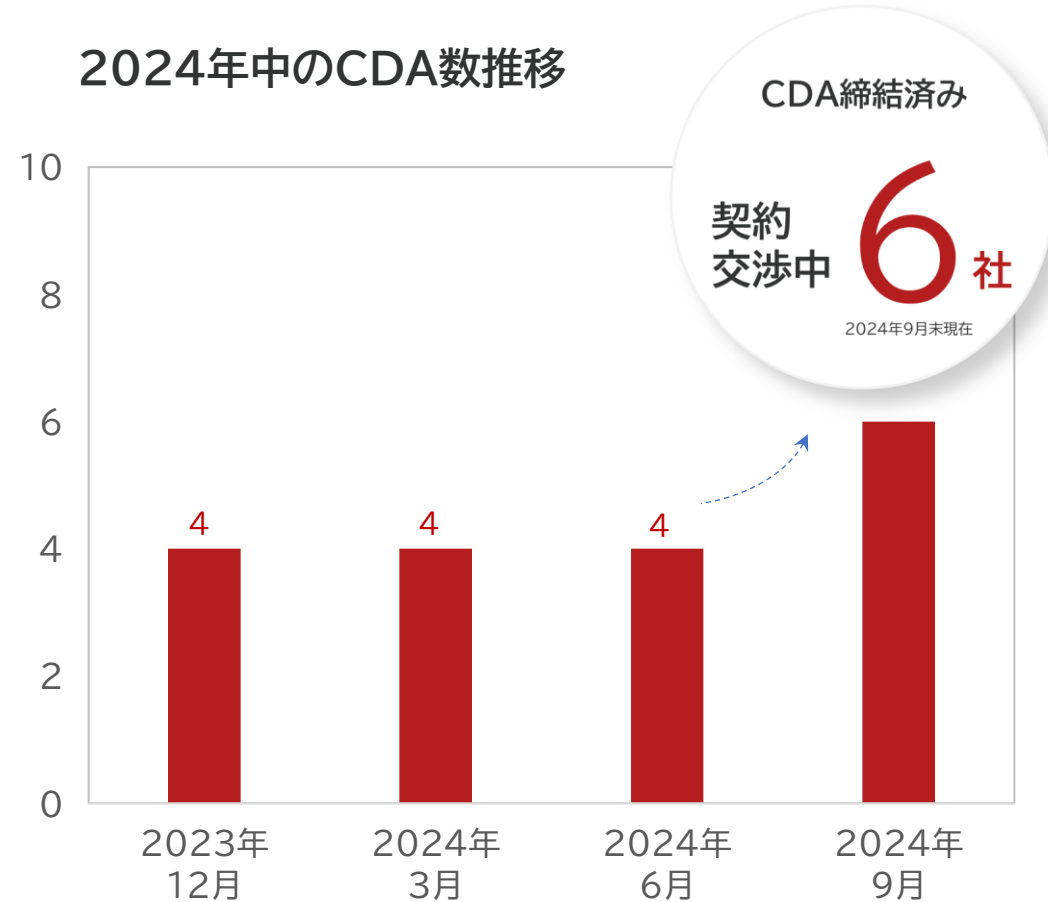
## 年間2社との新規提携に必要な秘密保持契約数の確保

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40%、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

### CDA下交渉から契約締結の推移



### 2024年中のCDA数推移





## 2 財務ハイライト

Financial Highlights

# 2024年12月期 第3四半期業績概要

mRNA標的低分子創薬事業にて各パートナーとの共同創薬研究が各々順調に進捗  
事業収入は研究支援金やマイルストーン収入等、合計165百万円を計上

## 要約損益計算書 (単位:百万円)

	2023/9期 四半期会計期間	2024/9期 四半期会計期間
事業収益	279	165
事業費用	239	286
営業利益	39	△121
営業外損益	0	△21
経常利益	37	△143
四半期純利益	35	△145

## 主な内訳 (単位:百万円)

うち 研究支援金等 75  
マイルストーン収入 90

うち 研究開発費 117  
販売費及び一般管理費 169

うち 上場関連費用 12  
新株発行費用 9

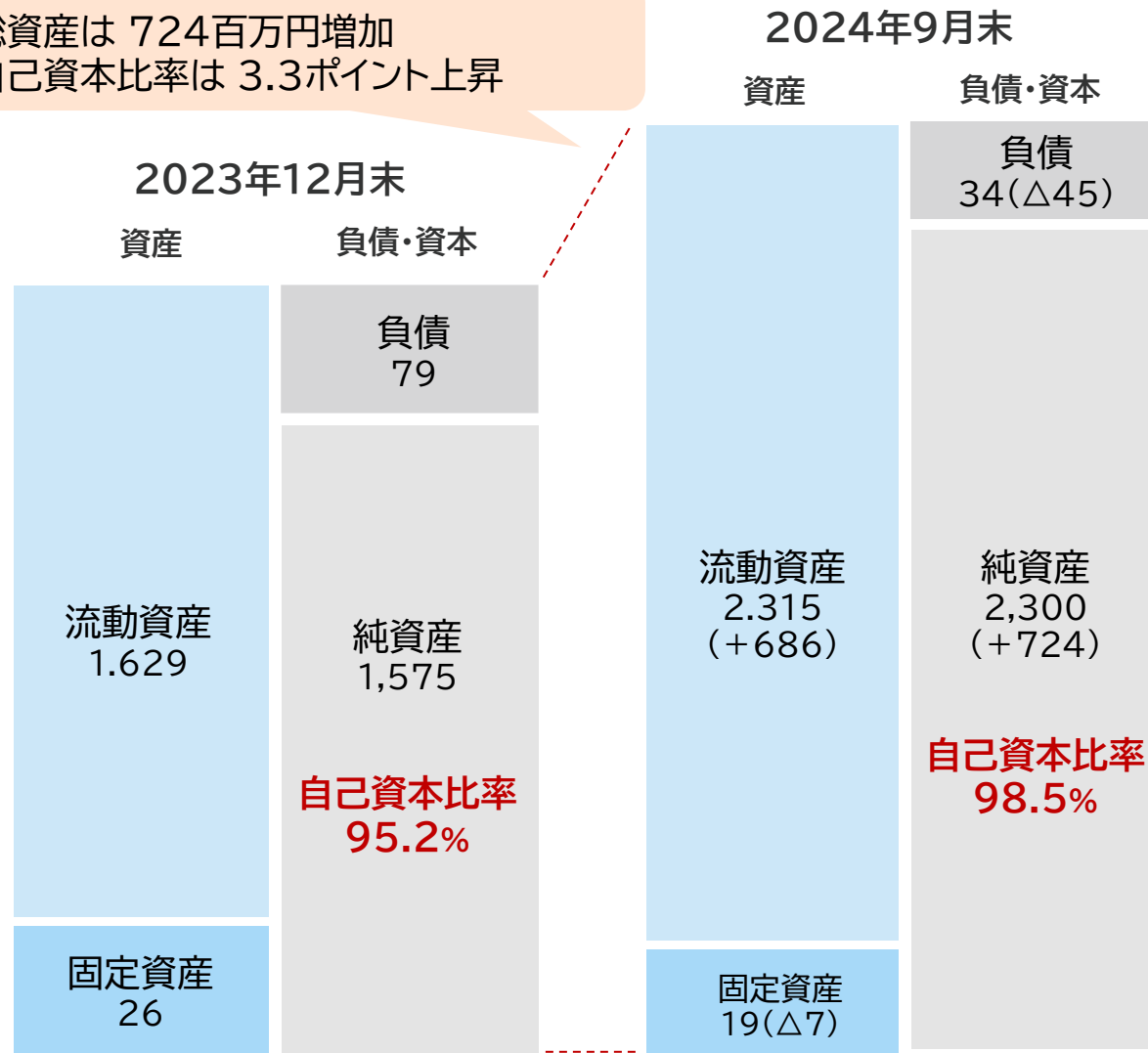
# 財務状況の推移

東証上場時の公募増資等により、流動資産が増加、自己資本比率が上昇  
資本金は 2024年4月の減資により減少

貸借対照表の推移 (単位:百万円)

	2023/12期末	2024/9期末
現金及び預金	1,549	2,234
流動資産合計	1,629	2,315
有形固定資産	23	16
固定資産合計	26	19
資産合計	1,655	2,334
負債合計	79	34
資本金	90	77
純資産合計	1,575	2,300
負債純資産合計	1,655	2,334

総資産は 724百万円増加  
自己資本比率は 3.3ポイント上昇





3

事業概要

Business Overview

## 会社概要

# mRNA標的低分子医薬品および核酸医薬品の創出に取り組むバイオテック企業

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	16名 (2024年9月末現在)
資本金	77,175千円 (2024年9月末現在)
事業内容	独自の創薬プラットフォーム ibVIS <sup>®</sup> により、 製薬会社と共同創薬研究を通じて、 mRNA標的の低分子医薬品の創出に取り組む



沿革

# 設立以降、実績を積み上げて着実にmRNA標的的低分子事業を拡大

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



研究・創薬  
パートナー



2016 2017 2018 2019 2020 2021 2022 2023 2024

出資者  
(事業会社)

三菱ガス化学  
(製造)

KDDI  
(IT)

mRNA標的的低分子創薬の  
プラットフォーム事業開始

mRNA標的的低分子創薬の  
ビジネスモデル特許取得(日本)

2024年2月、東京証券取引所  
グロース市場に株式を上場

(注) 現在、東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品の4社と共同創薬研究を実施中



# mRNA標的的低分子創薬を実現させた当社創立者のバックグラウンド

当社設立後、中村はバックグラウンドを最大限活用してmRNA標的的低分子創薬事業を本格化  
三度にわたる資金調達ラウンドを成功させ、2024年2月にはIPOを達成



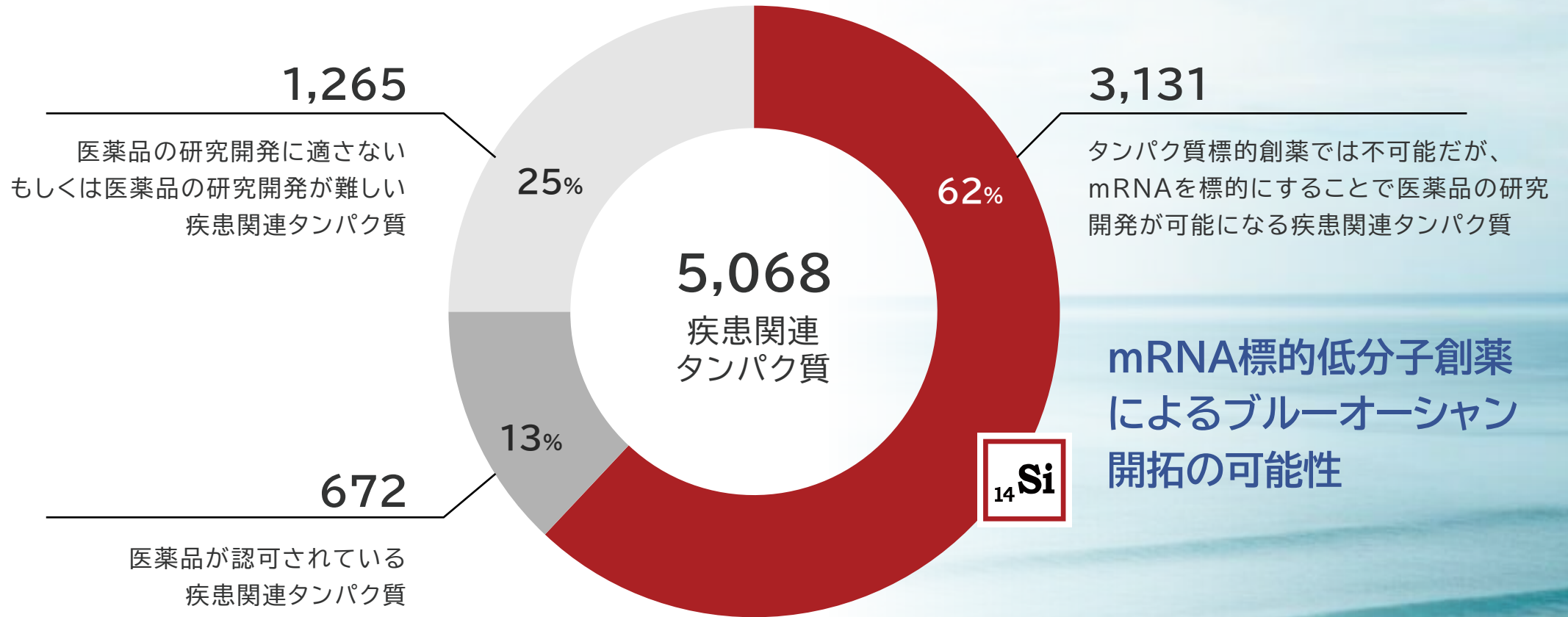
代表取締役社長  
中村 慎吾 PhD

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



# 治療“できない”を“できる”にするmRNA標的 low 分子創薬

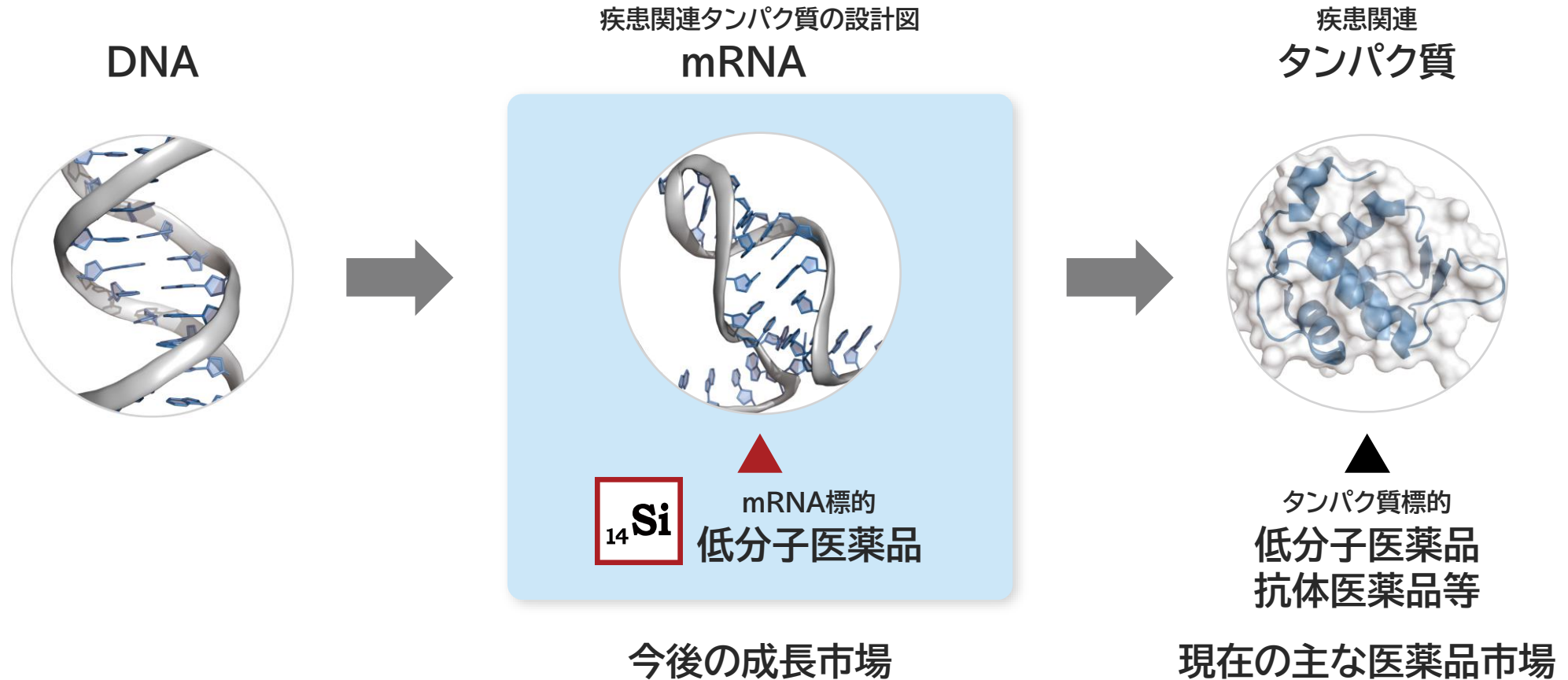
従来のタンパク質を創薬標的とした創薬技術では“Undruggable(創薬不可能)”な疾患もmRNAを創薬標的とすることで“Druggable(創薬可能)”に新しい創薬アプローチであるmRNA標的 low 分子創薬により、疾患関連タンパク質において大きな割合を占めるブルーオーシャンを開拓できる可能性がある



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

# mRNAを標的とした低分子医薬品でブルーオーシャンを開拓

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新しいブルーオーシャン戦略によって低分子創薬の課題が解決されるため、将来的な市場の成長が期待される



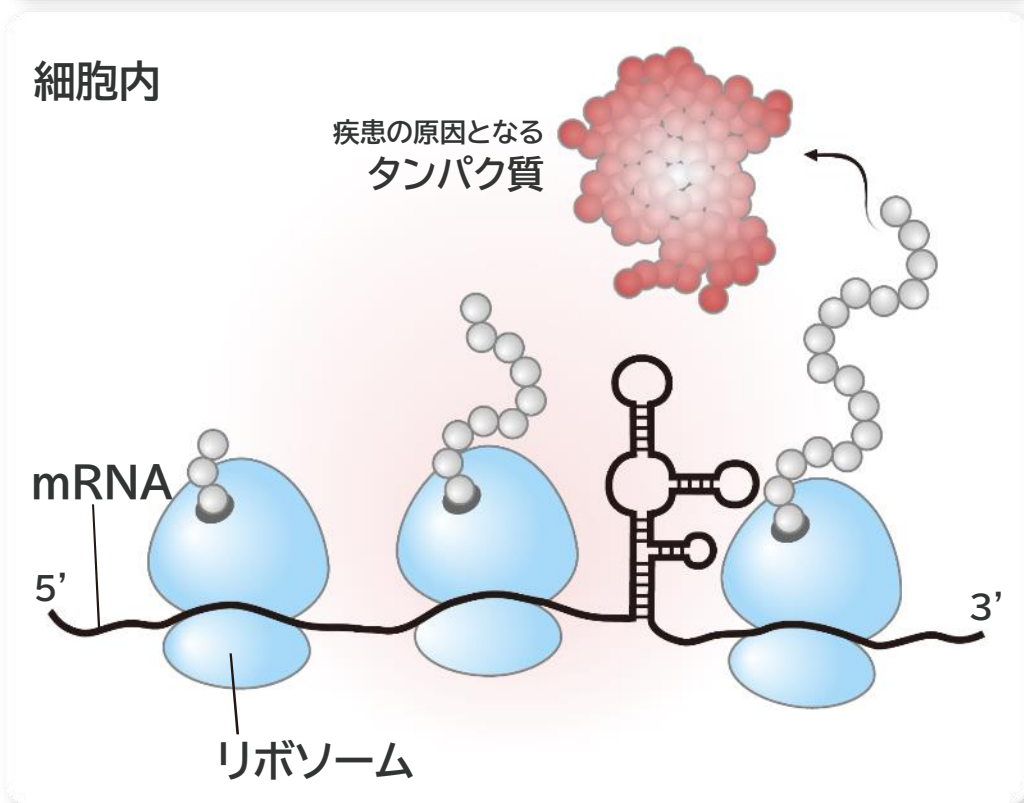
(注) mRNA標的の低分子医薬品の研究開発は世界的に見てもほとんどが研究段階であり、本創薬で上市された低分子医薬品はありません(2024年9月末現在)

# 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

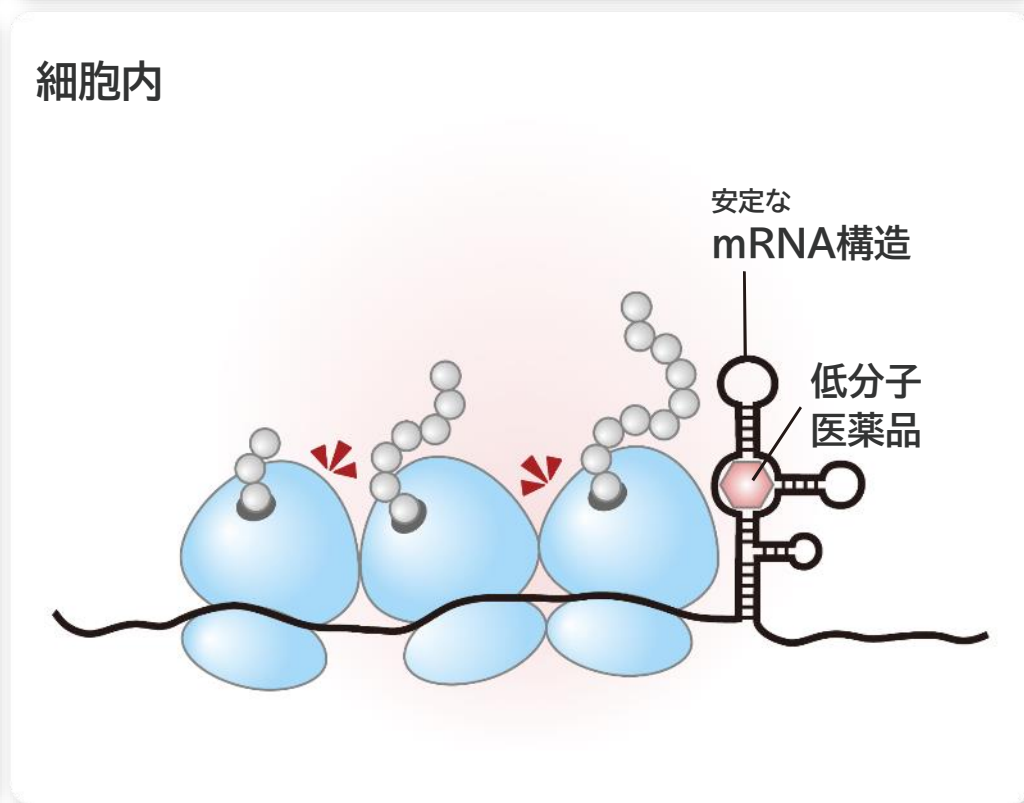
細胞内では、タンパク質の設計図であるmRNAの情報をリボソームが左から右(下図)に読み取ることでタンパク質が合成される

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

## 低分子医薬品なし



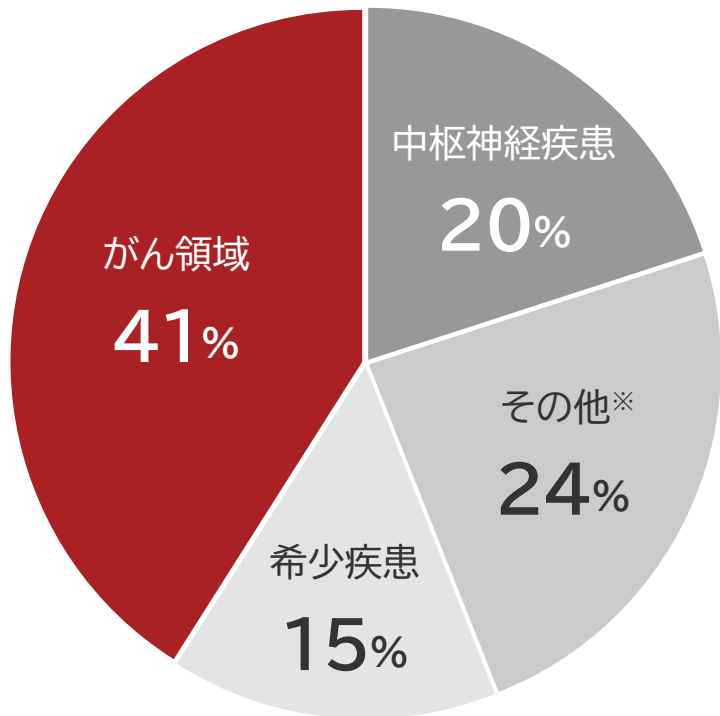
## 低分子医薬品あり



# ibVIS<sup>®</sup>で未だ満たされない医療ニーズに応える

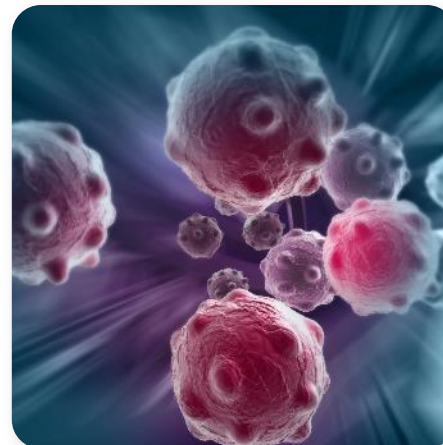
当社の創薬プラットフォームibVIS<sup>®</sup>を紹介した製薬会社から開示された創薬対象遺伝子は100以上で、疾患領域は多種多様である。創薬の専門家から見ても、ibVIS<sup>®</sup>は様々な疾患に適用可能であることを示唆している。特にがん領域は突出しており、中枢神経疾患がそれに続く

## 創薬対象遺伝子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) 2024年9月末現在において製薬会社から開示された創薬対象遺伝子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

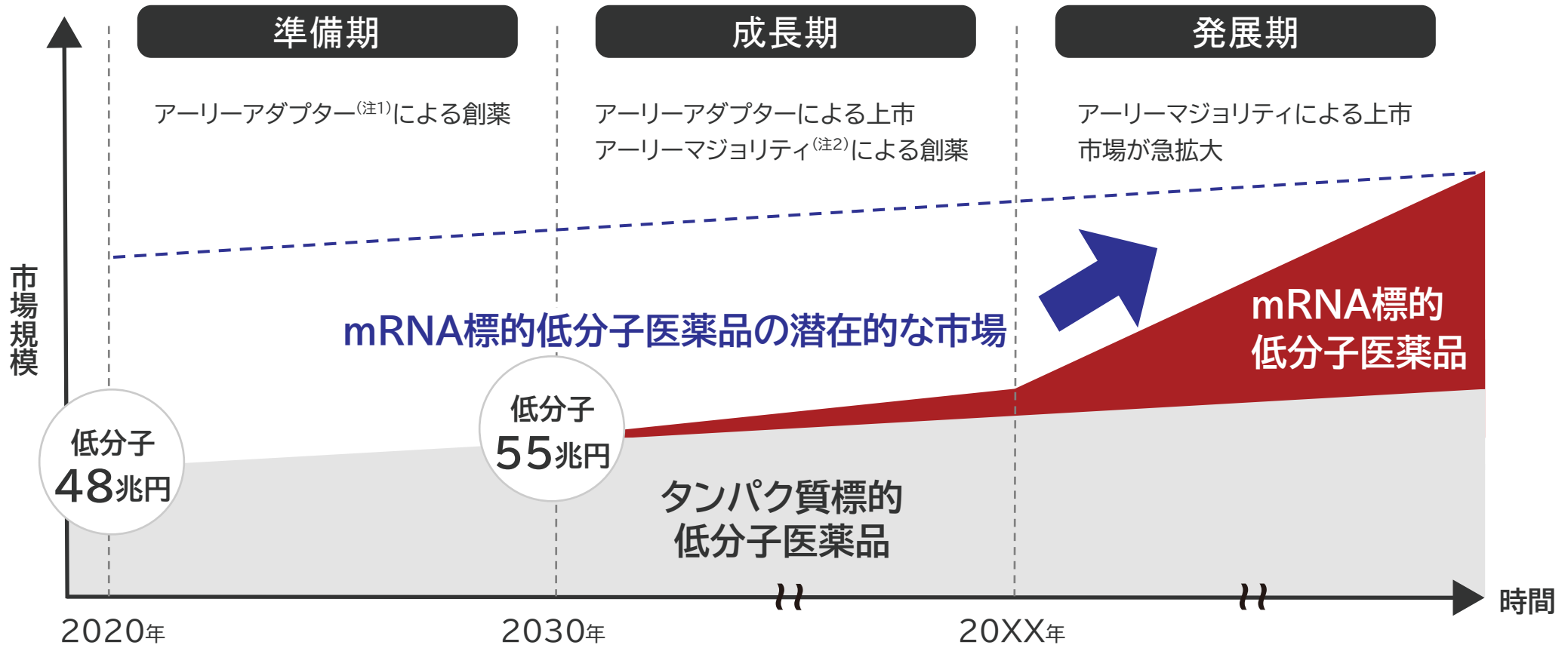


# 4 ビジネスモデル

Business Model

# 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)**



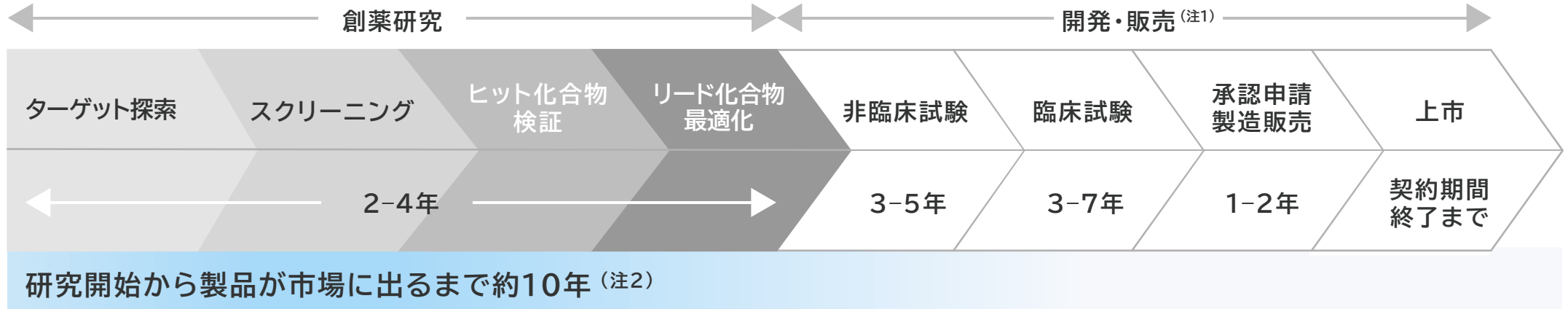
(注1) 初期採用者とも呼ばれ、イノベーター(革新者)の次に商品やサービスを購入する人々  
(注2) 前期追随者とも呼ばれ、アーリーアダプターからの影響を受ける人々

出典: 当社推定

低分子医薬品の市場規模(※)は、内閣官房 健康・医療戦略室委託事業「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」より抜粋

# 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



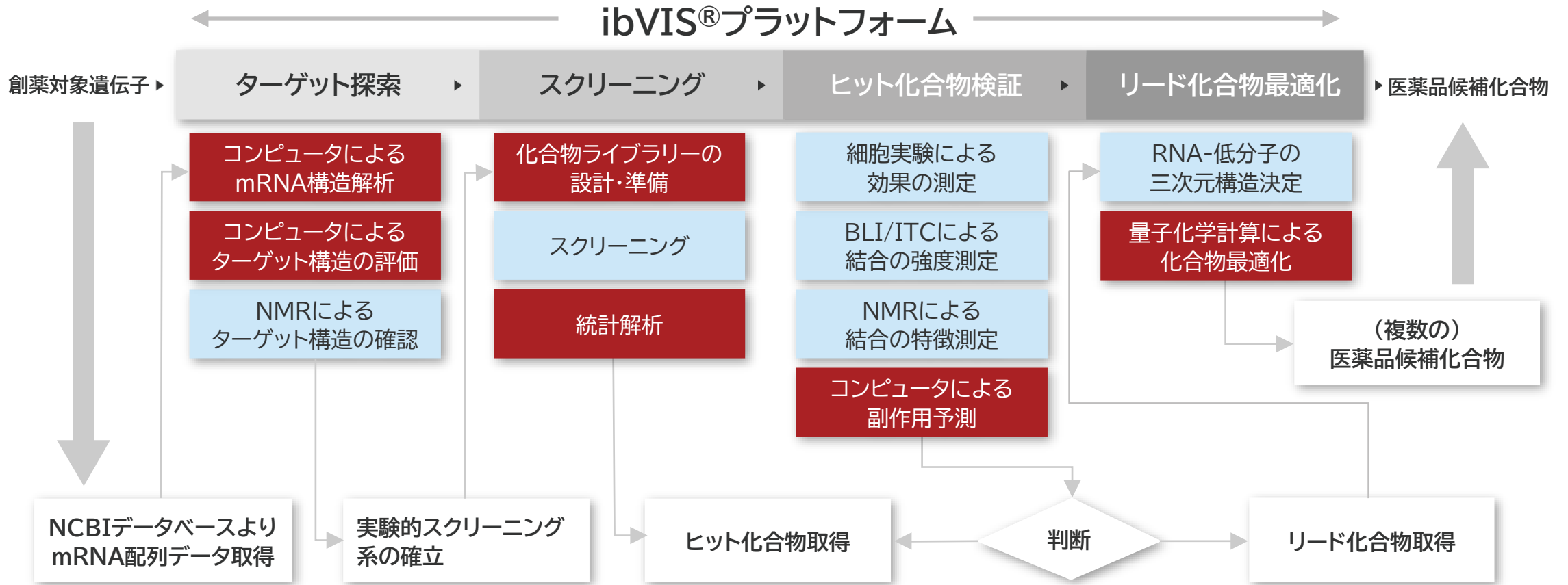
契約一時金	契約締結時に一時金として受け取る事業収益
研究支援金	研究実施等に対する対価として創薬標のごとに受け取る事業収益
マイルストーン	研究・開発・売上の進捗に応じて、事前に設定したイベントを達成した際に受け取る事業収益
ロイヤリティ	医薬品販売開始後に年間の売上高に応じて受け取る事業収益

(注1) 現時点(2024年9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



# ibVIS<sup>®</sup>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<sup>®</sup>は一連の創薬技術とデジタル技術より成り、mRNA配列データから医薬品候補化合物の取得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は社内研究により実効性を証明している



(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

デジタル技術

創薬技術



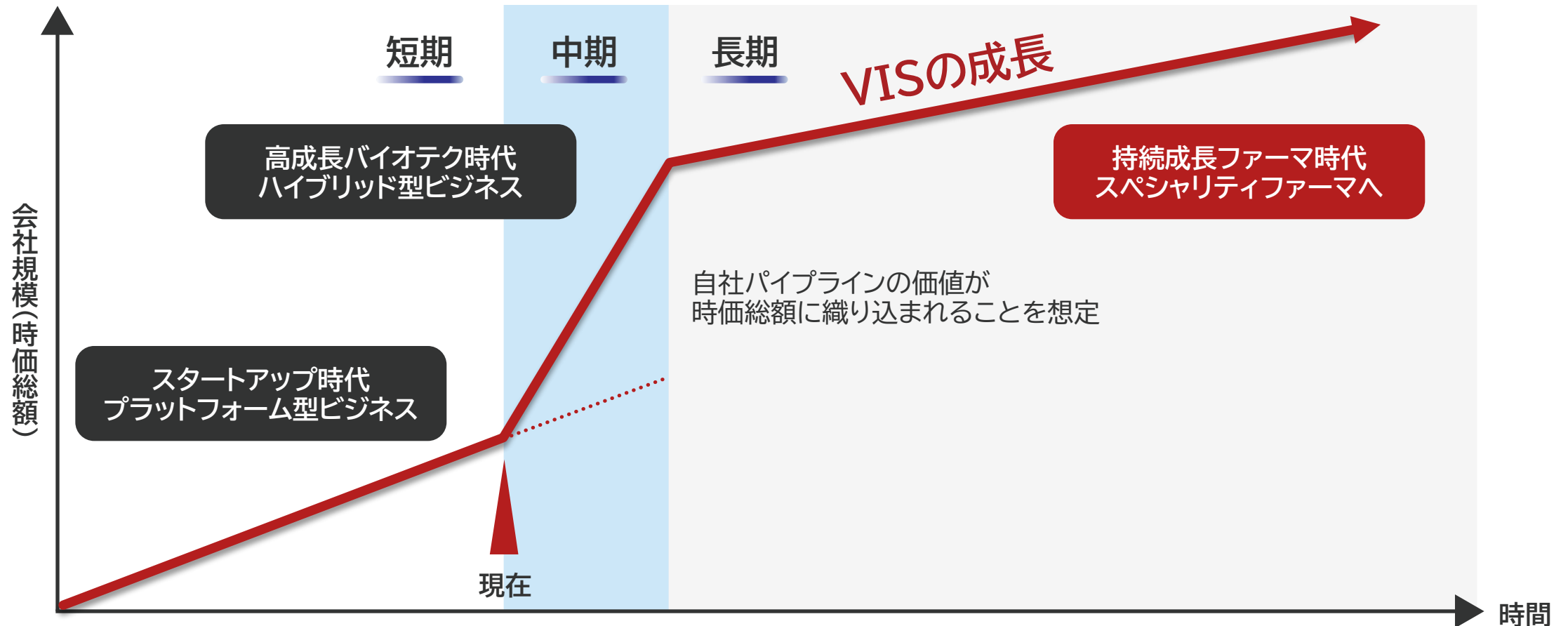
# 5 成長戦略

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、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

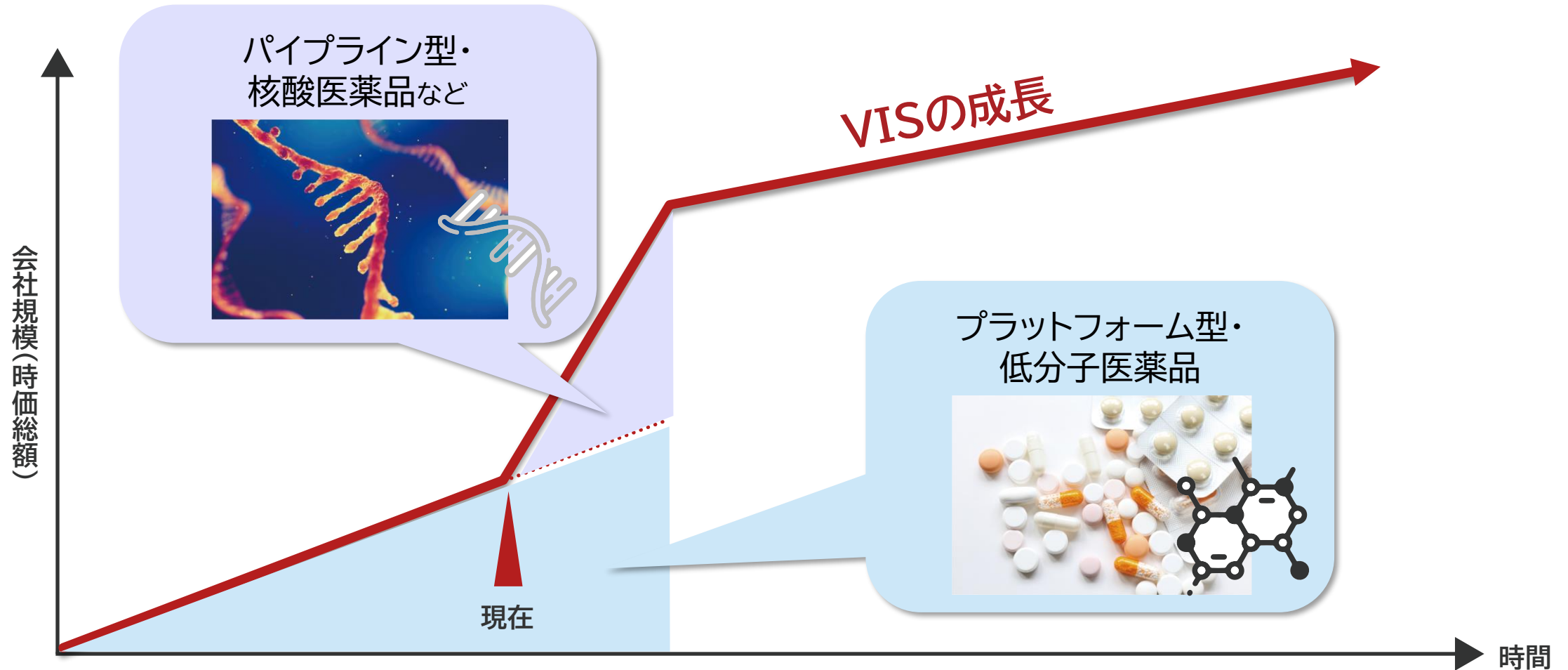
最終的には、持続的な成長を遂げるため、mRNA関連の創薬を主軸とし、研究開発・販売機能等を備えた製薬会社(スペシャリティファーマ)へ移行する方針



(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

# スペシャリティファーマの前段階としてハイブリッド型ビジネスに転換

mRNA標的 low molecular weight 医薬品のプラットフォーム型ビジネスを拡大しつつ、核酸医薬品を中心に自社バイプラインの創出を目指す



(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

# 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。ハイブリッド型ビジネスに転換するにあたり、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、将来的な事業の多角化を図る



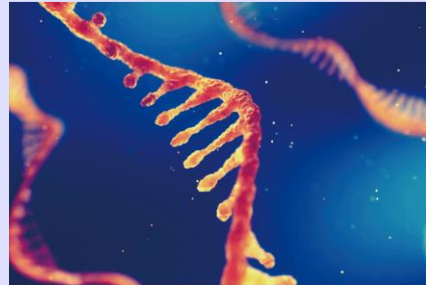
01



## mRNA標的の低分子医薬品

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



# 三菱ガス化学との核酸医薬の研究・開発・製造の共同事業に関するMOU締結

三菱ガス化学(MGC)との核酸医薬の共同事業を通じて、核酸医薬の品質向上や製造過程管理に貢献  
開発以降のプロセスがスムーズに進められるほか、将来の成功確率も高まることが期待できる

URL: <https://contents.xi-storage.jp/xcontents/AS82025/5f77c3b6/72ed/42c9/ae0c/b41840ee1416/140120241002592959.pdf>

## 10/9リリースの内容

MGCは核酸医薬を今後成長が見込める市場ととらえ、核酸医薬のCDMO事業での参入を検討

当社が核酸医薬品を創出する際に、MGCがより効率のよい新たな製造工程の検討を行うことで、核酸医薬品の品質を担保

共同事業の開始に向けた検討が進行中

## 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

ODS主催でmRNA標的の低分子創薬を啓発するウェビナーを2024年3月に開催。これをきっかけに欧州製薬企業とCDAを締結し、現在契約交渉中。当社が欧州に進出するにあたり、製薬会社と契約交渉および契約締結後の共同創薬研究において、ODSは当社の強力なパートナーとなっている。

会社名	Oncodesign Services (ODS)
代表者	Fabrice Viviani, President and CEO
設立年	1995年
社員数	230名 (PhD取得者 22%)
顧客数	1,000
WEB	<a href="https://www.oncodesign-services.com/">https://www.oncodesign-services.com/</a>

2024年9月末現在

出典: Oncodesign Services社のウェブサイト

The image shows a webinar slide with a dark blue background and a DNA double helix graphic. The text on the slide includes the Oncodesign Services logo, the word 'Webinar', and the title 'How to target RNA modulation with small molecule?'. Two speakers are featured in circular frames: Dr. Ella Morishita, Senior Investigator at Veritas In Silico, and Dr. Maria Duca, Research Scientist at Université Côte d'Azur. A red rectangular box highlights the portrait of Dr. Ella Morishita.

当社の主席研究員森下がスピーカーとして登壇



# LCC社とのmRNA標的低分子医薬品の共同創薬事業に関するパートナーシップ合意

Liverpool ChiroChem Ltd. (LCC)は、創薬プロセスで使用される化学構成要素の製造を行うサプライヤー  
当社と相補的な化学リソースを持つLCCと提携することで、両社で低分子医薬品の自社パイプライン創出を手掛けることが可能に

URL: <https://contents.xi-storage.jp/xcontents/AS82025/efa59911/3af5/4188/97a5/4a15739370ec/140120241008595033.pdf>



## パートナーシップ合意の内容(10/9発表の内容)

LCCの高度な化学プラットフォームと当社のmRNA標的  
低分子創薬プラットフォームibVIS®を活用

LCCの特徴であるフラグメントライブラリーを活かし、  
未公開のmRNA標的に作用するフラグメント化合物※  
を取得

パートナーシップの実施に必要な契約締結等の手続きが  
進行中

※フラグメント化合物は、創薬において、標的タンパク質と効率よく結合する  
分子を探索するために用いられる分子量が300未満程度の小さな分子

## 社会や環境の持続可能性に配慮した経営

製薬会社やアカデミアとの連携を通じ、低分子医薬品の創出に真摯に取り組むことにより、より多くの患者さまの健康と福祉に貢献する社会の科学技術力の向上や働きがいのある企業風土の醸成等を通じて、社会や環境の持続可能性に配慮した経営を実践する

### 事業活動に内在 した取り組み

- 希望に満ちたあたたかい社会を実現するために
- ◆ 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

### 事業基盤を構築 する取り組み

- ◆ 優秀な人材の確保と育成
- ◆ 働きがいのある企業風土の醸成
- ◆ 人材の多様化と一人ひとりを活かす組織づくり
- ◆ 働きやすい職場環境（年次有給休暇取得の促進）
- ◆ 従業員の健康管理・増進
- ◆ グリーン購入法に沿った購買

### サステナブルな社会の実現 科学技術の持続性 に向けた取り組み

- ◆ mRNAに関するアカデミアとの共同研究を通じた当社の科学力の向上
- ◆ 大学等教育機関での講義・講演を通じたアカデミアに対する貢献

## 社会の科学力の持続性に向けた取り組み

アカデミアとの共同研究や講義・講演を通じて、当社創薬技術の向上を図るとともに、日本の科学技術の向上ひいては持続可能な社会の実現に貢献する

### mRNAに関するアカデミアとの共同研究

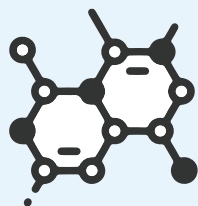
大阪大学 2件

千葉工業大学

上智大学

東京農工大学

甲南大学



mRNA標的  
低分子医薬品

新潟薬科大学

東京慈恵会医科大学

Stanford大学



核酸医薬品

### 教育機関等での講義・講演

#### 毎年実施の講義

東京工業大学

千葉工業大学

#### 2024年実施の社長講演

日経ビジネスフォーラム

有機合成化学協会

mRNAターゲット創薬研究機構

LINK-J 創薬のフロンティア

バイオインダストリー協会(JBA)

文部科学省 JASIS2024セミナー



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



**Veritas In Silico**