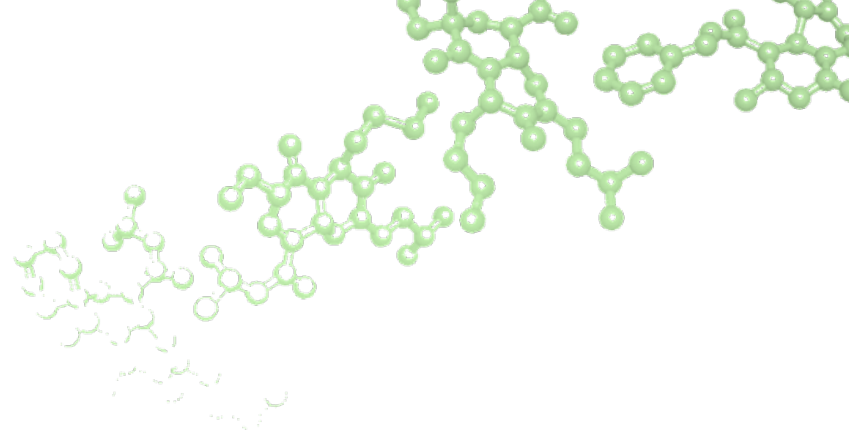




PRISM
BioLab



決算説明会資料

Leading Drug Discovery Technology Platform for PPI Modulation

November 15, 2024

株式会社PRISM BioLab



免責事項

本資料は、株式会社PRISM BioLab(以下「当社」といいます)の企業情報等の提供のみを目的として作成されたものであり、日本、米国その他の法域における当社の発行する株式その他の有価証券への勧誘を構成するものではありません。

当社は、本資料に含まれる情報または意見の公平性、正確性、完全性または正当性について、明示的または黙示的に表明または保証をするものではありませんので、これらに依拠することのないようお願いいたします。本資料の使用または内容等に関して生じたいかなる損害について、当社は一切の責任を負いません。また、本資料の内容は事前の通知なく大幅に変更されることがあります。

本資料には、当社の現在の見通し、予想、目標、計画などを含む将来に関する見通しが含まれています。このような将来に関する見通しは、当社が本資料の日付現在において入手可能な情報を踏まえた、当社の現在の前提及び見解に基づくものであり、経営陣による将来の業績の保証を表すものではありません。当社は、将来に関する見通しであることを示すために、全てではありませんが、多くの場合、「目的」、「予想」、「確信」、「継続」、「努力」、「想定」、「期待」、「予定」、「意図」、「する可能性がある」、「計画」、「見込み」、「可能性」、「予測」、「リスク」、「努める」、「するべきである」、「目標」、「する予定である」等の語句およびこれと同様の意味を有する語句を用いています。また、戦略、計画または意図の議論においても将来に関する見通しが含まれます。これらの見通しは、将来の予想を議論し、戦略を特定し、経営成績または当社の財務状態の予測を含み、または当社の事業および業界、将来の事業戦略ならびに将来において当社が営業を行う環境に関する当社の現在における予想、想定、見積もりおよび予測に基づくその他の将来に関する情報を記載するものです。既知および未知のリスク、不確実性およびその他の要因により、当社の実際の業績は、将来に関する見通しに記載されまたは示唆されるものとは大幅に異なる可能性があります。当社は、これらの将来に関する見通しに記載される予想が正確なものであることを保証することはできません。当社は、本資料に記載される将来の見通しに関する記載を更新し公表する義務を負いません。

Purpose

PepMetrics®技術を活用して、だれもが希望に満ちた生活をするための新薬を創出します。

Mission

私たちは、自由な発想と積み重ねた技術で「あたらしい創薬」に挑戦し続けます。

Vision

「あたらしい研究」にチャレンジできる舞台に、
多様な才能が集い、
世界の新薬創出をリードします。

01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



2024年9月期のハイライト

2社の製薬会社との共同研究契約の締結

- 2023年11月:
イーライリリー・アンド・カンパニーとのライセンスおよび共同研究契約(最大6億6,000万ドルのマイルストーン)
- 2024年5月:
小野薬品工業とのライセンス契約

2度の資金調達

- 2024年1月:
イーライリリー・アンド・カンパニーとsantec Holdingsから15億円の資金調達
- 2024年7月:
東京証券取引所グロース市場へ新規上場

小野薬品およびEli Lillyとのライセンス・共同研究契約締結

PRISM BioLab、小野薬品工業とのライセンス契約締結のお知らせ

(2024年4月25日)

株式会社PRISM BioLab(本部:神奈川県藤沢市、代表取締役:竹原 大、以下、「PRISM」)と小野薬品工業株式会社(本社:大阪市、代表取締役社長:滝野 十一、以下、「小野薬品」)は、2024年4月25日付けでがん領域における創薬に関するライセンス契約を締結しました。

今回の契約締結により両社は、タンパク質/タンパク質相互作用(PPI)を標的としたPRISM独自の低分子によるペプチド模倣技術『PepMetrics®技術』を用いて、小野薬品の創薬ターゲットに対する開発候補化合物を共同で創製し、PRISMは契約に基づき、開発候補化合物をライセンスします。これにより、PRISMは小野薬品より契約一時金、共同研究費、マイルストーン、およびロイヤリティ等を受領する権利を得ます。

PRISM BioLab、米国製薬大手イーライリリー・アンド・カンパニーと ライセンスおよび共同研究契約を締結

(2023年11月29日)

株式会社PRISM BioLab(代表取締役 竹原 大 本社:神奈川県、以下「PRISM」)は、Eli Lilly and Company (CEO: David A. Ricks 本社:米国、インディアナ州、以下「Lilly」)との間で創薬に関するライセンスおよび共同研究契約を締結しました。

今回の契約締結により両社は、タンパク質/タンパク質相互作用(PPI)を標的としたPRISM独自の低分子によるペプチド模倣技術『PepMetrics® 技術』を用いて、Lillyの創薬ターゲットに対する開発候補化合物を共同開発します。Lillyは、二つの創薬標的を追加するオプションを持ち、臨床開発ならびに商業化する権利を得ます。

これにより、PRISMは契約一時金及び前臨床・臨床・販売に応じて総額で最大6億6,000万ドルのマイルストーンと、売上に応じたロイヤリティを受取る権利を得ます。

01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



2024年9月期 通期 損益状況

◎ 共同研究契約の拡大と、研究開発機能の強化

単位：百万円

科目名	2023年 9月期	2024年 9月期	増減
売上高	112	305	+192
販売費及び一般管理費	577	942	+365
うち研究開発費	338	571	+232
営業損失	△496	△782	△285
営業外費用	0	49	+49
経常損失	△497	△831	△333
特別損失	28	216	+188
当期純損失	△526	△1,049	△522

Lilly、小野薬品からのアップ
フロント、共同研究費の当期
期間分

研究開発の増強

研究開発設備投資の減損
処理

2024年9月期 通期 財政状況

◎ 上場に伴う資金調達により、今後の研究開発費を確保

単位：百万円

科目名	2023年 9月期	2024年 9月期	増減
流動資産	1,197	4,483	+3,285
うち現金及び預金	1,133	4,392	+3,258
固定資産	13	45	+31
資産合計	<u>1,211</u>	<u>4,528</u>	<u>+3,317</u>
流動負債	63	1,019	+956
固定負債	0	5	+5
負債合計	<u>63</u>	<u>1,025</u>	<u>+962</u>
純資産合計	<u>1,148</u>	<u>3,502</u>	<u>+2,354</u>
負債純資産合計	<u>1,211</u>	<u>4,528</u>	<u>+3,317</u>

新株発行、アップフロント、共同研究費等

アップフロント、共同研究費受領に伴う契約負債増加等

新株発行等

2024年9月期 通期 キャッシュフロー状況

◎ 共同開発事業の契約により、営業キャッシュフローがプラス

単位：百万円

科目名	2023年 9月期	2024年 9月期	増減
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 513	150	+662
税引前当期純損失	△ 525	△ 1,048	△ 522
契約負債の増減額	8	886	+878
減損損失	28	216	+188
その他	△ 24	94	+118
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 40	△ 244	△ 202
財務活動によるキャッシュ・フロー	0	3,370	+3,370
現金及び現金同等物に係る換算差額	0	△ 17	△ 18
現金及び現金同等物の増減額	△ 554	3,258	+3,812
現金及び現金同等物の期首残高	1,687	1,133	△ 554
現金及び現金同等物の期末残高	1,133	4,392	+3,258

営業キャッシュフローは
プラス

アップフロント、共同研究費
受領に伴う契約負債増加

研究開発設備投資の減損
処理

新株発行増資

増資とほぼ同額の資金増

01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



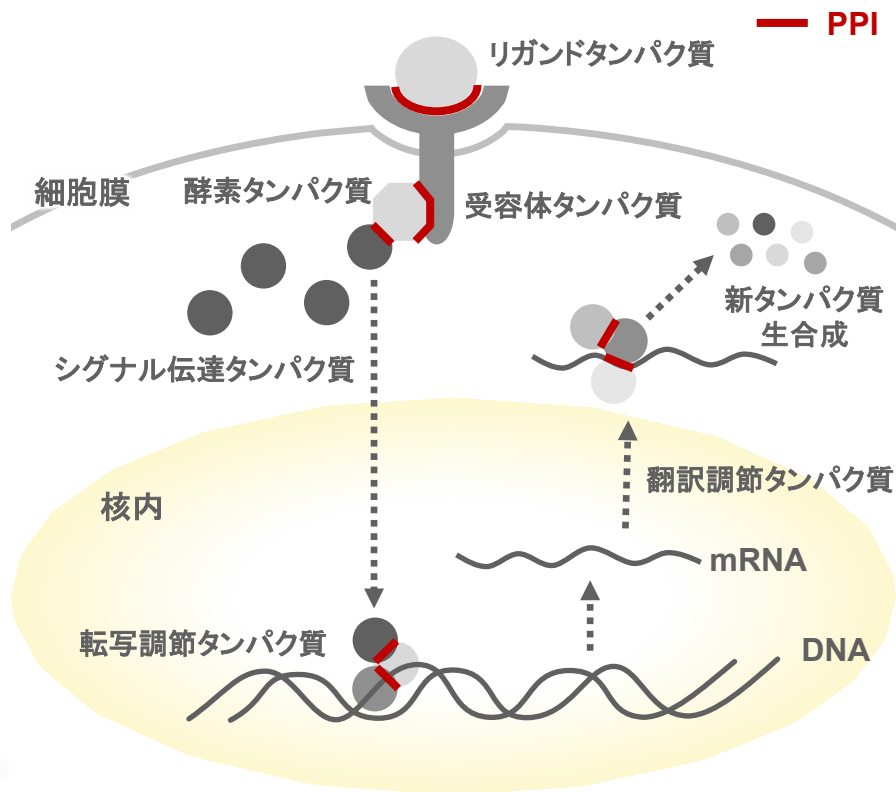
PepMetricsがあたらしい創薬領域を創る可能性



タンパク質間相互作用(以下「PPI」※)は有望な創薬標的

PPIは人体の発生、維持、疾患に深く関与し、重要な創薬標的となり得る

PPIは生命にとって重要な調節を担う



体内では健康を維持するため
様々なシグナル伝達のパスウェイに
PPIが関与している

PPIは重要な創薬標的となり得る

PPIに関与するタンパク質(一例)	関連タンパク異常	関連する疾患の例
リガンドタンパク質	インスリン 欠乏	糖尿病
	成長ホルモン 過剰	先端巨大症
受容体タンパク質	NTRK1 機能異常	疼痛
	LDL受容体 機能異常	動脈硬化
酵素タンパク質・シグナル伝達タンパク質	リパーゼ 機能異常	高コレステロール血症
	APC 機能異常	大腸ガン
転写調節タンパク質	IRF5 増加	全身性エリテマトーデス
	Myc 増加	神経芽腫
翻訳調節タンパク質	eIF4E 増加	難治性乳ガン
	FMRP 機能異常	発達障害

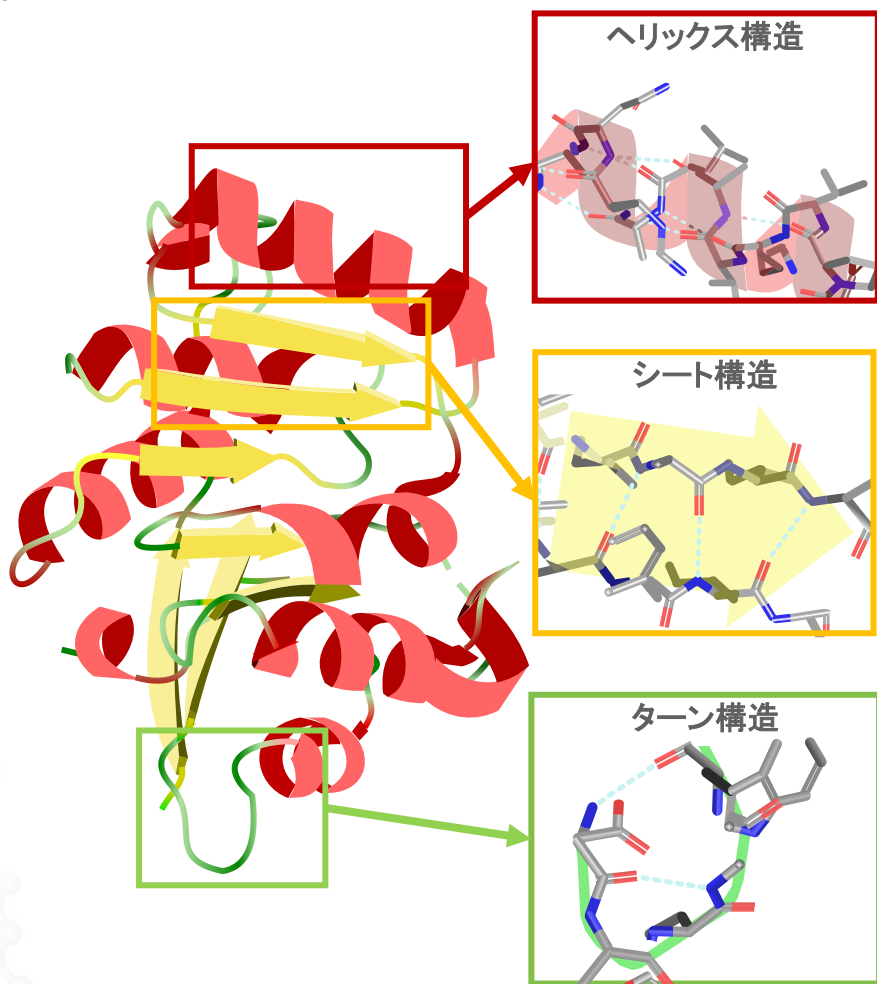
※: インスリン、成長ホルモン、NTRK1、LDL受容体、リパーゼ、APC、IRF5、Myc、eIF4E、FMRP: これらすべて体内にあるタンパク質の一種

PPIを創薬標的にする新規薬剤を創出できれば
多くの疾患領域に新たな治療アプローチを
提供できる可能性

PPIで重要な役割を担うヘリックス構造

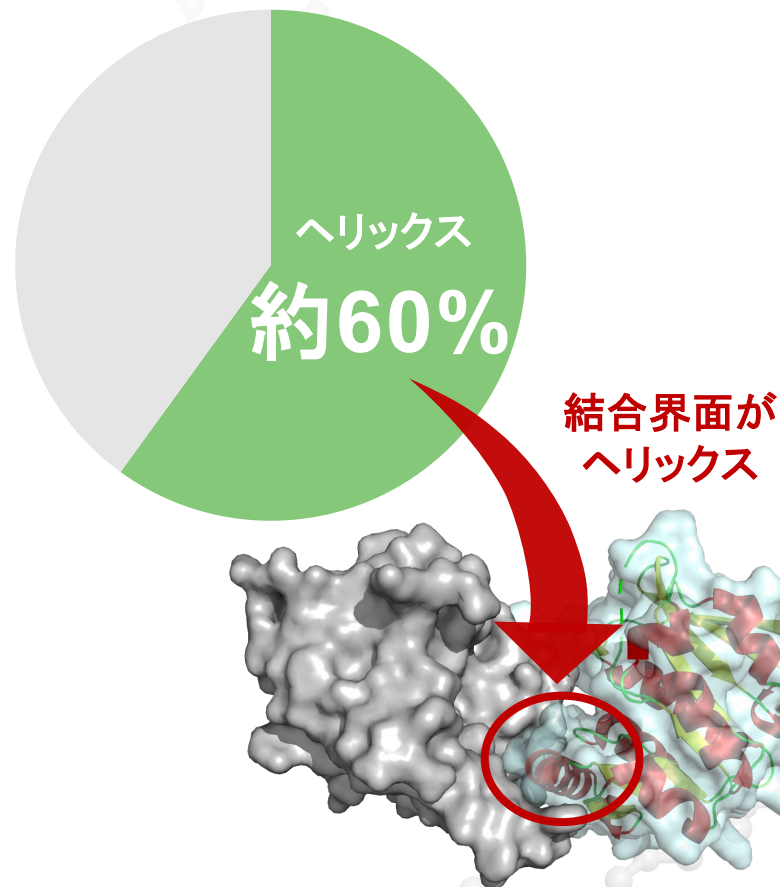
PPIにおいてヘリックス構造は重要な役割を担っている

タンパク質は3種類の二次構造により構成



ヘリックスはPPIの結合部位に多くみられる

PPIへの結合関与割合※1

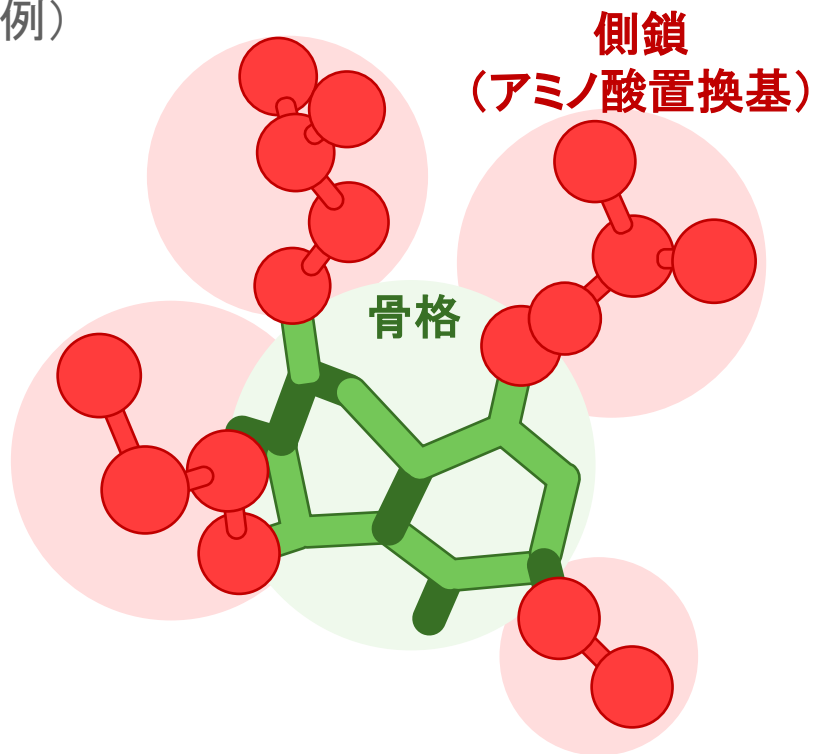


当社のプラットフォーム基盤技術「PepMetricsテクノロジー※」

PepMetricsは初めてヘリックス構造の模倣に成功した新たなPPI制御モダリティ

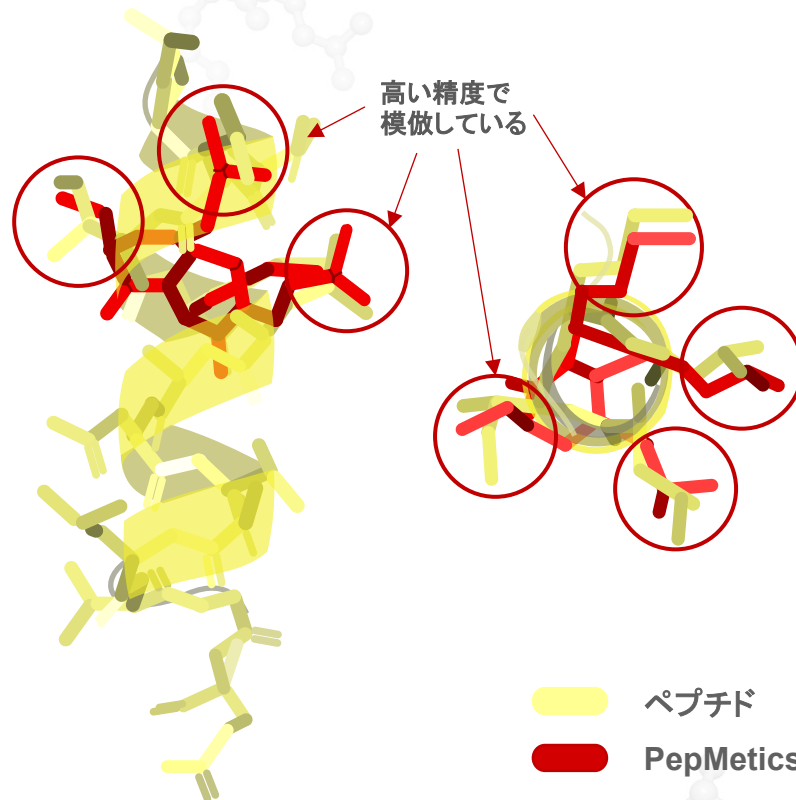
PepMetrics化合物の構造

(例)



PepMetrics化合物は
構造的にヘリックス構造を模倣する「骨格」と
様々な組み合わせられる「側鎖」で構成

PepMetricsはヘリックス構造を高い精度で模倣

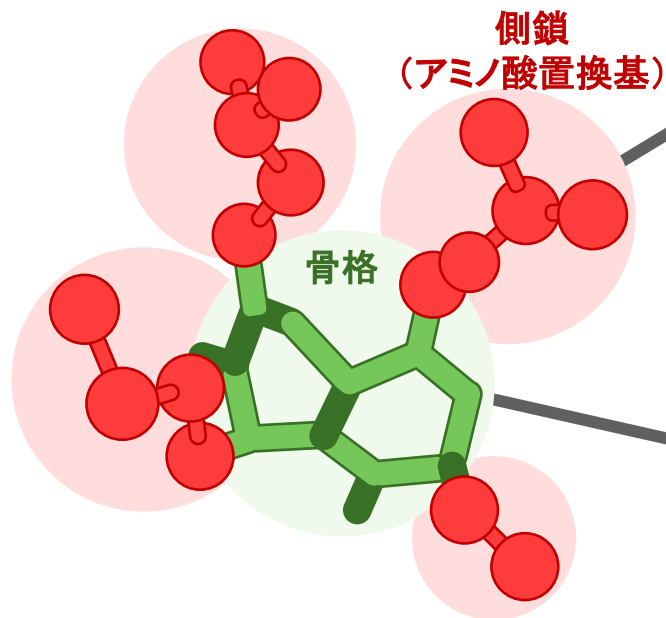


安定構造の骨格により
ヘリックス構造を高い精度で
模倣することが可能

化合物の設計におけるPepMetricsの柔軟性

PepMetricsはターゲットタンパク質に対して柔軟な設計が可能で、様々なヒット化合物の創出や化合物最適化を実現できる

4つ※1のアミノ酸をつなげた
PepMetrics化合物



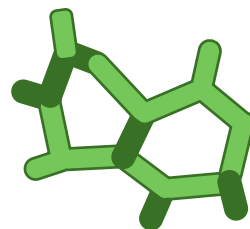
多様なアミノ酸側鎖



側鎖位置

3~5ヶ所

様々なヘリックス構造を模倣する骨格

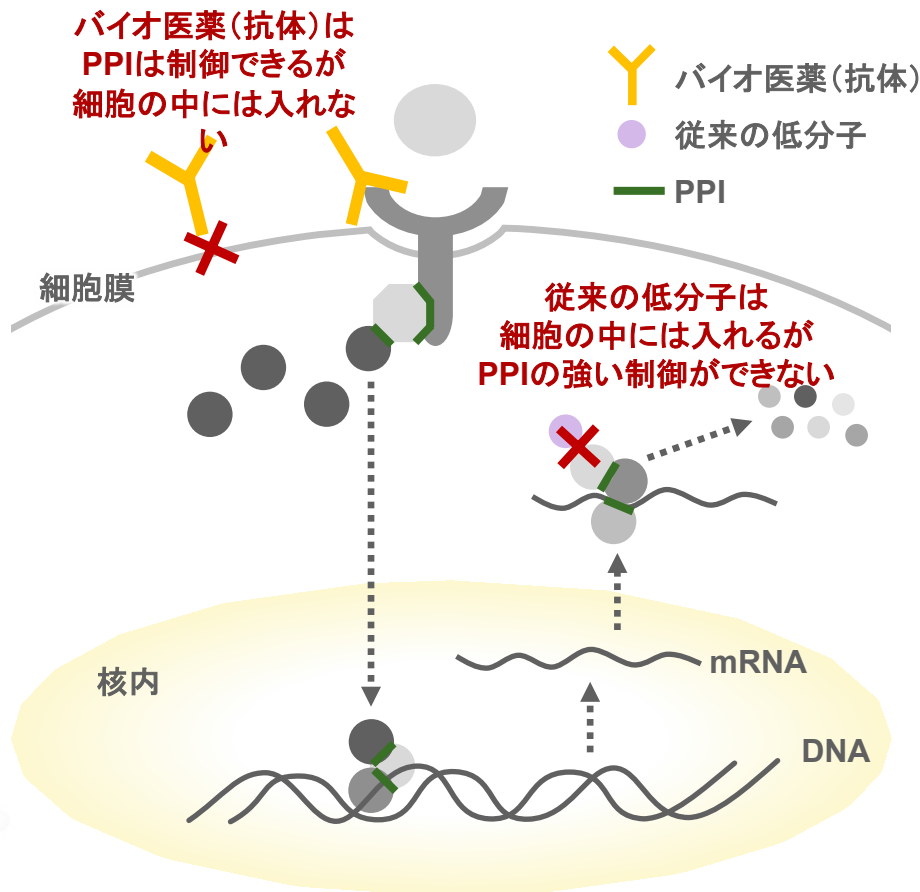


無数の組み合わせ

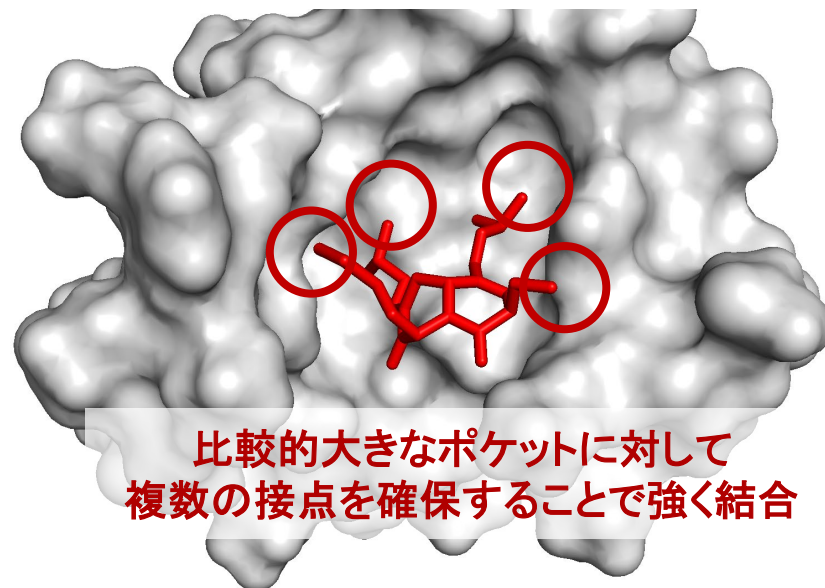
ターゲットタンパク質に対する柔軟な設計が可能

「細胞内」PPIをターゲットとする創薬の課題

細胞内PPIをターゲットとする創薬では、従来の低分子では十分な阻害作用を発揮できず、バイオ医薬（抗体）では作用部位に到達できないことが課題



PepMetrics



PepMetricsは従来の低分子と同様に細胞の中に入り、かつ従来の低分子以上にPPIを阻害できる

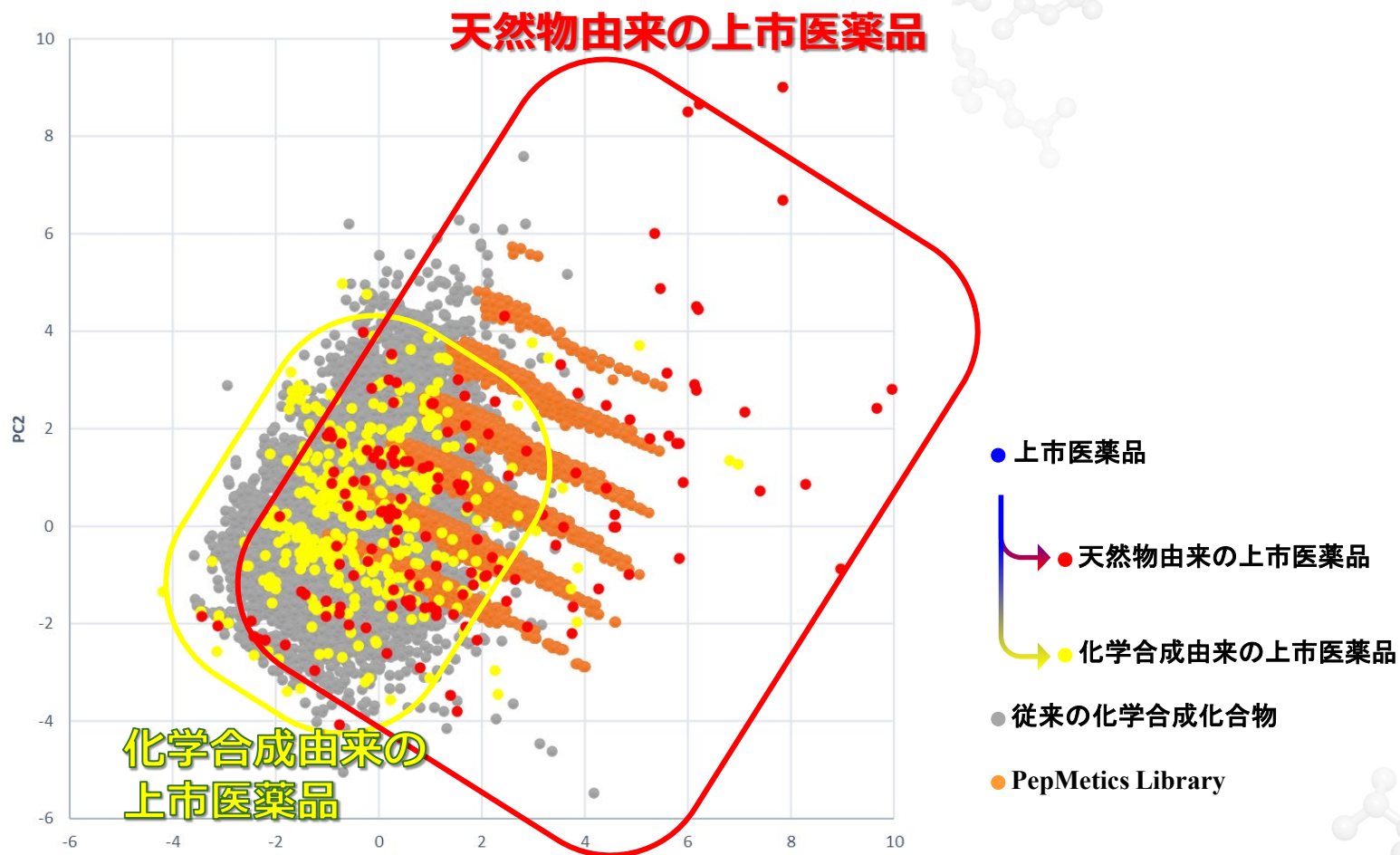
細胞内PPIに対する他モダリティとの比較優位性

他のモダリティと比較しても「細胞内PPIの制御」というコンセプトにおいて、PepMetricsは画期的な創薬基盤

	細胞内移行性	PPI	選択性	安定性	剤形
 PepMetrics	細胞内移行可能	PPI制御可能	選択性が高い	生体内酵素で分解されにくい	経口剤化可能
 抗体	細胞内移行不可	PPI制御可能	選択性が高い	生体内で極めて安定	経口剤化不可
 ペプチド	細胞内移行限定的	PPI制御可能	選択性が高い	生体内で分解される	経口剤化不可
 従来 of 低分子	細胞内移行可能	PPI制御不可	選択性が低い (低選択性に起因する毒性懸念あり)	生体内酵素で分解されにくい	経口剤化可能

天然物に類似する構造を有するPepMetrics

化学合成では創薬が難しいとされる天然物由来の医薬品に重なる領域をPepMetricsはカバー



PepMetricsは天然物に近い特徴を有しており、従来の合成化合物では創薬不可能とされてきた標的に対して多くのヒット化合物を創出

01 ハイライト

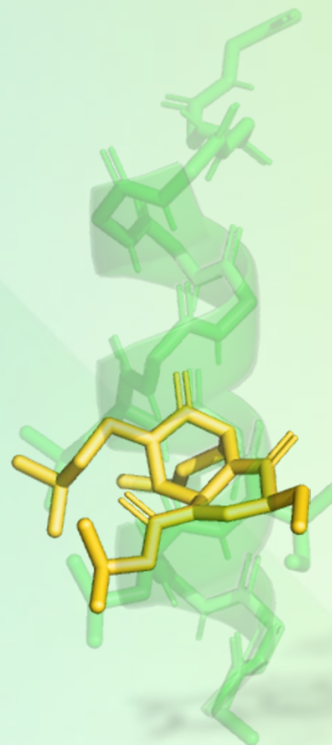
02 2024年9月期の業績

03 PepMetics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

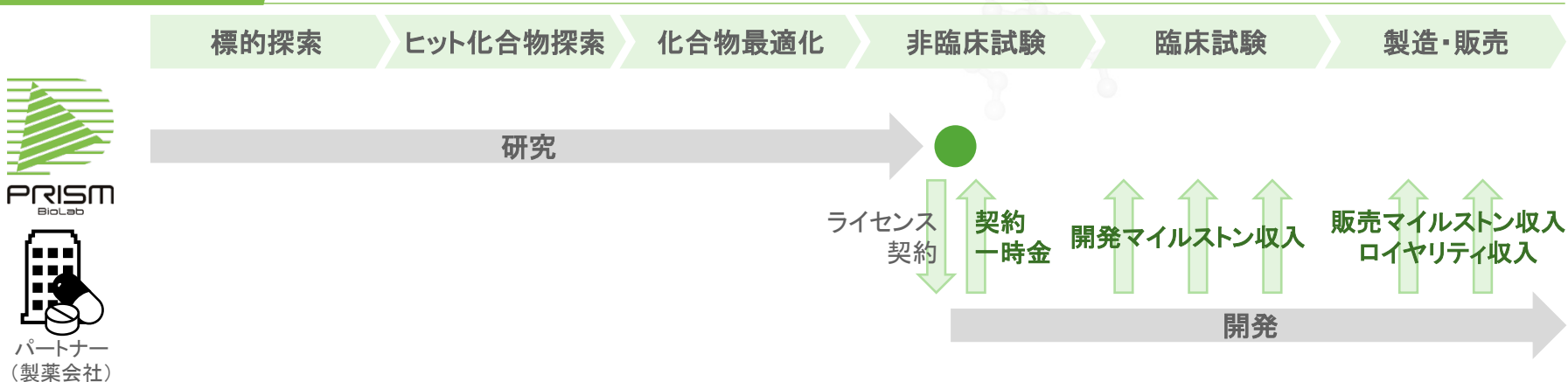


当社のビジネスモデル

自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

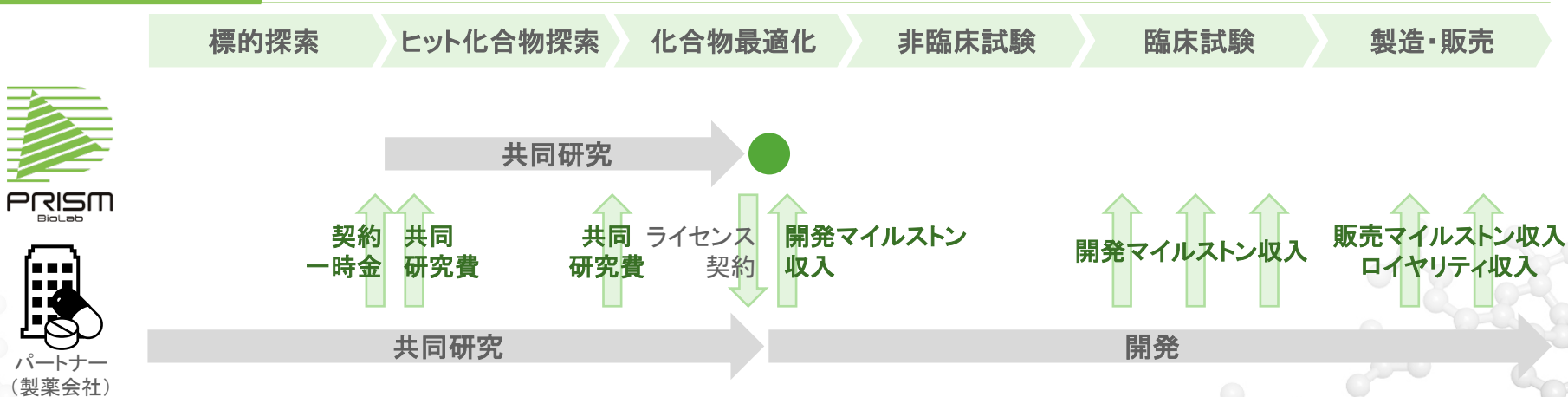
自社開発事業

自社で創薬標的を選定し臨床化合物を開発してライセンス



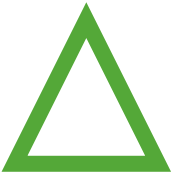
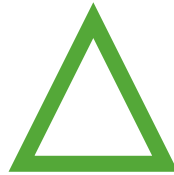
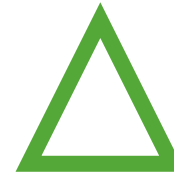



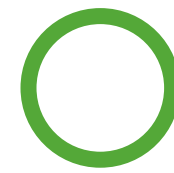
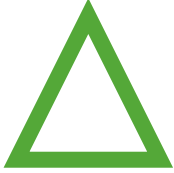
共同開発事業

パートナー(製薬会社)の創薬標的に対し、PepMetricsを活用して臨床化合物を探索してライセンス

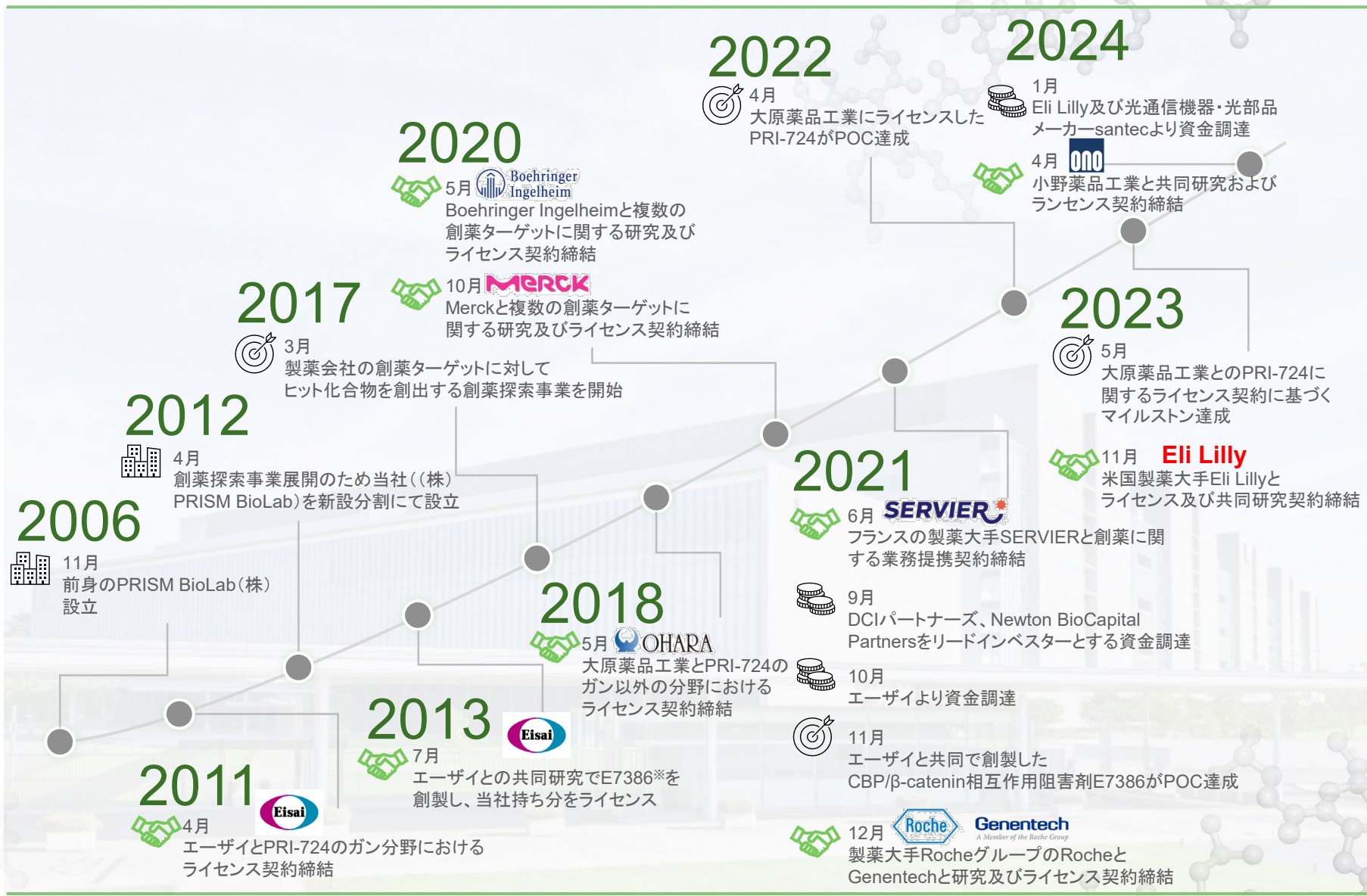


当社の各事業の特徴

ハイブリッドモデルにより安定的かつ大きなリターンを目指す

	開発コスト	契約機会	収益タイミング	収益規模
自社開発事業 先行投資を伴うハイリスク、 ハイリターンなビジネスモデル	 ライセンスアウトまでの 資金は当社で負担、 開発リスクも伴う	 リソース(資金・人)によって 並行するプログラム数が 限られる	 ライセンスアウトまでは 収益化は見込めない	 ライセンスアウト後の 1件の契約総額は 大規模になる可能性
共同開発事業 安定的で早期収益化が 可能なビジネスモデル	 当社の資金やリスクは ほとんどかからない	 パートナーの資金で多くの プログラムを並行して 進めることが可能	 当初から収益化が見込める	 自社開発事業と 比較すると 1件の契約総額は小規模

自社開発から共同開発への展開



01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル



05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



自社開発事業

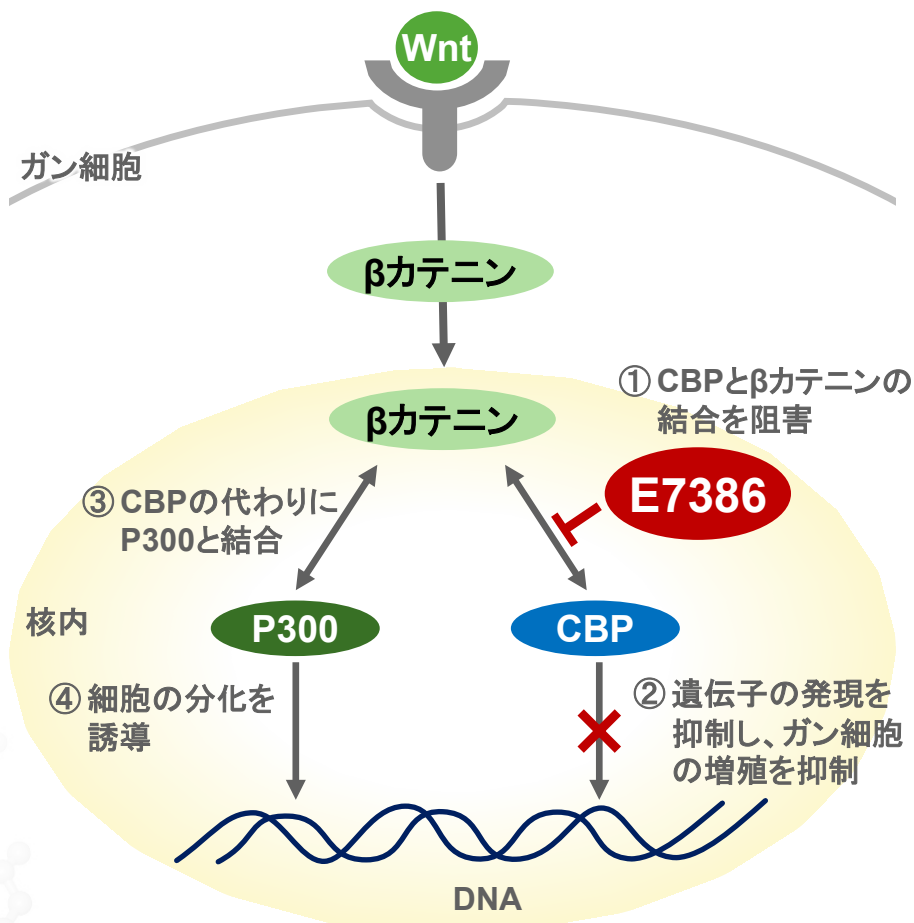
製薬企業2社に導出し、臨床第II相試験を進めている

提携先	契約締結年月	経済条件	契約内容及び進捗状況
	2011年4月	<ul style="list-style-type: none">一時金、開発、販売等に対するマイルストーン及び研究費を含めて250億円以上ロイヤリティ: 非開示	<ul style="list-style-type: none">対象製品に対するライセンス契約共同で創製した中分子化合物であるCREB-binding protein (CBP)/β-catenin 相互作用阻害剤 E7386 について、2021年11月に臨床における POCを達成上記POC達成を受け、E7386とMerck & Co., Inc., Rahway, NJ, USAの抗PD-1抗体ペムブロリズマブの併用療法を固形ガンにおいて評価する臨床第I b/II相試験(NCT05091346)を日本および欧米で開始
	2018年5月	<ul style="list-style-type: none">非開示	<ul style="list-style-type: none">当社の保有する特許権及び特許を受ける権利について、日本国内の専用実施権を許諾する契約2023年7月より、CBP/βカテニン阻害薬OP-724のC型・B型肝炎ウイルスまたは非アルコール性脂肪肝炎に起因する非代償性肝硬変患者を対象とした臨床第II相試験を開始

自社開発事業：E7386※1

E7386は第Ib相試験において腫瘍縮小効果を示した

E7386の作用機序

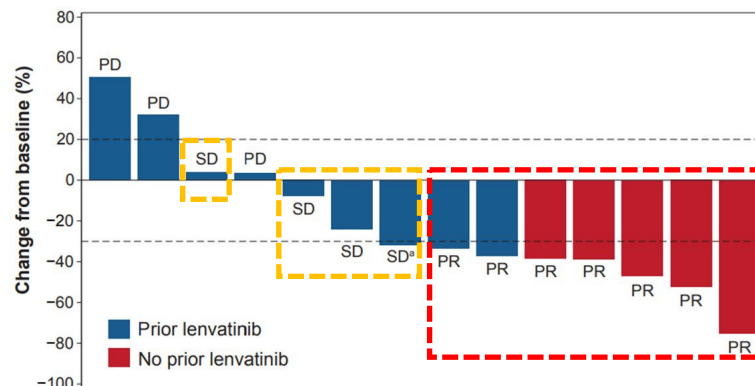


※1: E7386はエーザイと共同創製した化合物

第Ib相試験の臨床試験データ※2

<欧州臨床腫瘍学会 (ESMO2024) 発表概要> ※用量拡大パート
CBP/β-catenin相互作用阻害剤E7386は、レンバチニブ※3との併用療法による進行子宮体がんを対象とした第Ib相試験において効果を示した (NCT04008797)。

- ✓ これまでに投与された 16 名の患者において、管理可能な安全性プロファイルが示された
- ✓ 現在までに治療を受けた16人の患者のうち、RECIST評価基準を用いて43.8%(7人)の部分奏効 (confirmed PR、腫瘍の大きさが 30%以上縮小)、25.0%(4人)の腫瘍安定 (SD、腫瘍の大きさが-30%~+20%)が認められた。うち、以前にレンバチニブの投与を受けていた10人の患者においても、2人がPRを示した。



※2: PD, progressive disease; PR, partial response; SD, stable disease; RECIST, response evaluation criteria in solid tumors.

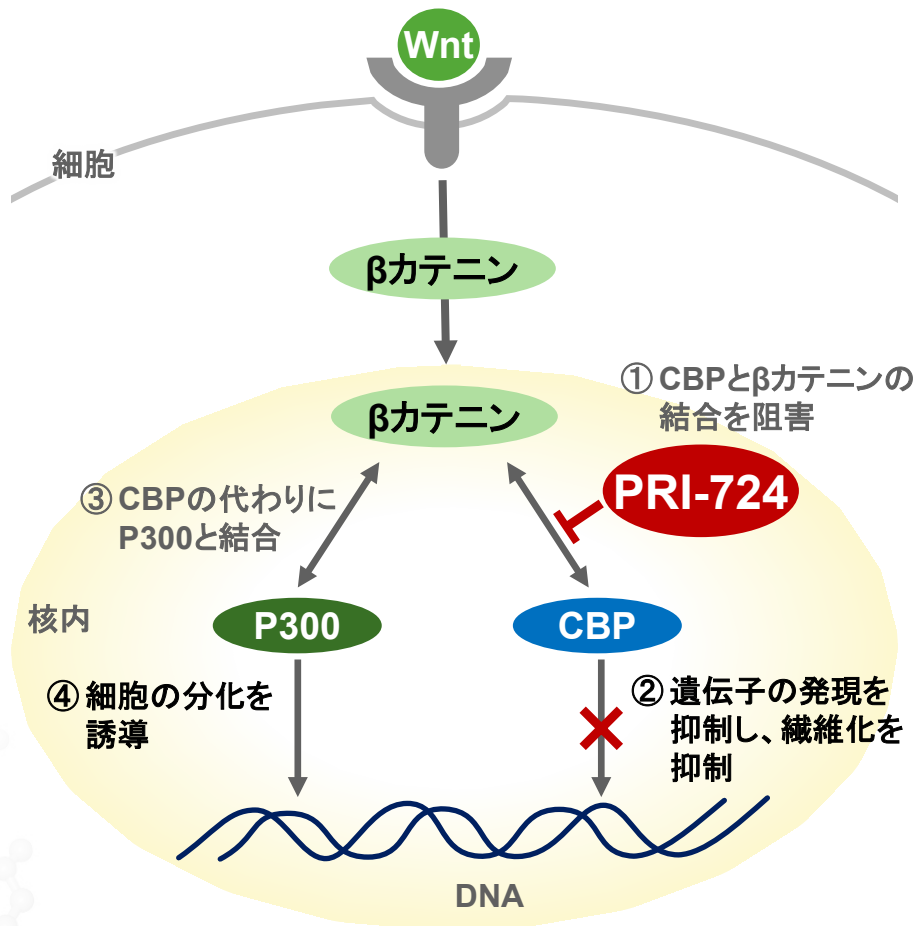
出所: European Society for Medical Oncology: (ESMO) 年次総会 (ESMO2024 Annual Meeting) ポスター発表 (2024年9月13~17日)

※3: 本剤は、エーザイが創製し、エーザイと Merck & Co., Inc., Rahway, NJ, USA が提携契約のもと、共同開発および共同商業化を行っています

自社開発事業：PRI-724

PRI-724は第I/IIa相試験において肝硬変患者の肝硬度および肝機能を改善した(ヒトPOC達成)

PRI-724の作用機序

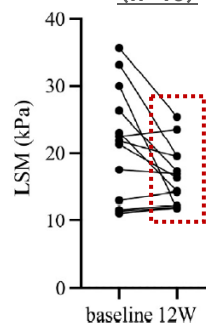


第I/IIa相試験の臨床試験データ

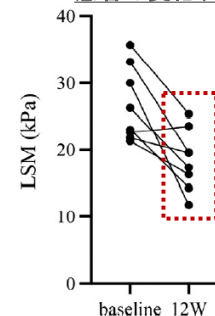
CBP/βカテニン阻害薬PRI-724は、C型またはB型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者を対象とした第I/IIa相試験において、肝硬度および肝機能を改善した(NCT03620474)。

✓ PRI-724投与による肝硬度 (LSM) : 有意な改善が認められた。

投与患者のLSMの変化 (n=13)

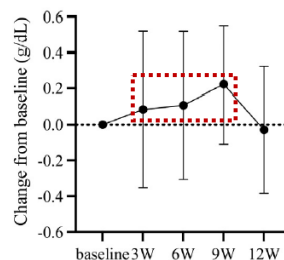


うち、LSM20kPa以上(重度)の患者の変化(n=8)

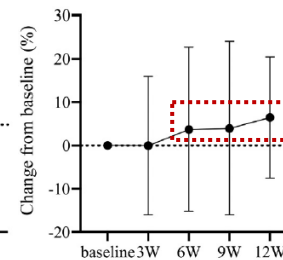


✓ PRI-724投与による肝機能: 血清アルブミン値、総ビリルビン値及びプロトロンビン時間において、ベースラインに対する改善が認められた。

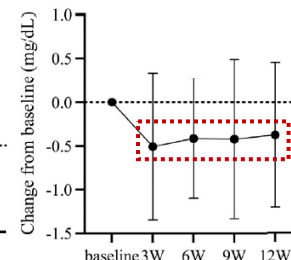
血清アルブミン値(n=14)



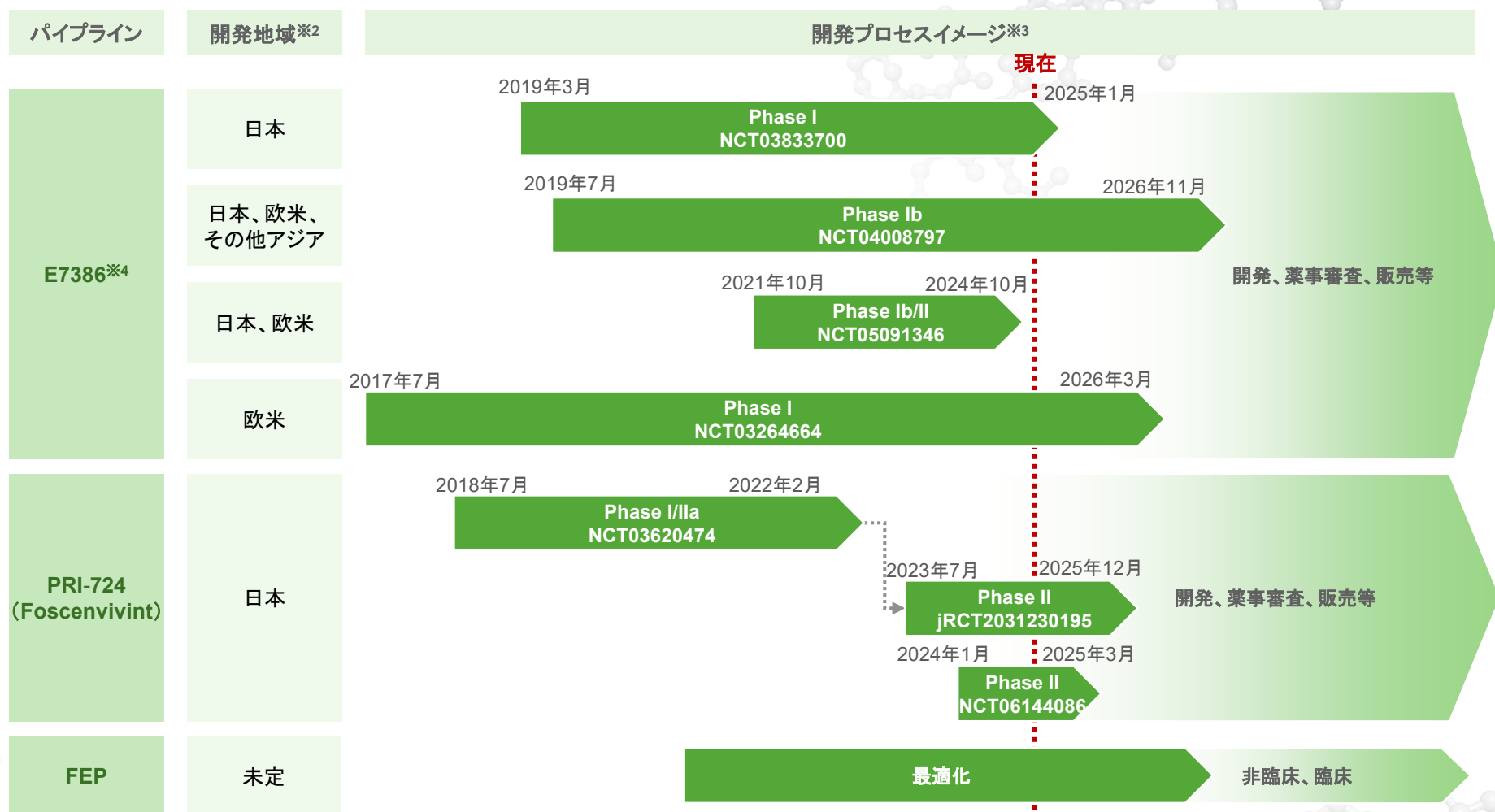
プロトロンビン時間(n=14)



総ビリルビン値(n=14)



開発プロセスのイメージ: 自社開発事業※1



※1: 開発、販売地域はアライアンス先の開発・販売戦略毎に異なります。上記の情報には、現在入手可能な情報に基づく当社の判断による、将来に関する記述が含まれています。そのため、上記の情報は様々なリスクや不確実性に左右され、実際の開発状況はこれらの見通しとは大きく異なる可能性があります。






導出された製品候補については、パートナーが今後の開発・商業化の第一義的な責任を負います。

※2: 開発地域は当該臨床試験の実施国が属する地域を記載しております。情報は、2024年11月9日時点でのjRCT又はClinicalTrials.govに基づくものであり、変更になる可能性があります。

※3: 開発プロセスイメージにおける臨床試験期間は、2024年11月9日時点でのjRCT又はClinicalTrials.govに基づくものであり、変更になる可能性があります。また、臨床試験期間は、当該臨床試験の開始日(予定日)・終了日(予定日)を参照しております。開始日について、症例登録開始日(予定日)、被験者登録組入日の開示がある場合は当該時期を開始日として参照しております。

共同開発事業：創薬共同研究

グローバル企業7社と共同研究及びライセンス契約を締結

提携先	契約締結年月	経済条件	契約内容及び進捗状況
	2024年4月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">小野薬品工業のガン領域の創薬標的に対する開発候補化合物を共同開発。小野薬品工業は臨床開発ならびに商業化の権利を得る。
	2023年11月	<ul style="list-style-type: none">契約一時金及びマイルストーン合計：最大6億6千万ドル(約995億円※1)ロイヤリティ：非開示	<ul style="list-style-type: none">Lillyの創薬標的に対する開発候補化合物を共同開発。Lillyは臨床開発ならびに商業化する権利を得る。合計3つの創薬標的が対象。
	2021年12月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">三社間契約。Roche及びGenentechの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。
	2021年6月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">SERVIERが見出した標的に対して共同研究を実施し、ヒット化合物を創出。当社で最適化を実施中。SERVIERがライセンス交渉権を有する。
	2020年10月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">Merckの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。
	2020年5月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">Boehringer Ingelheimの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。

01 ハイライト

02 2024年9月期の業績

03 PepMetics技術

04 ビジネスモデル

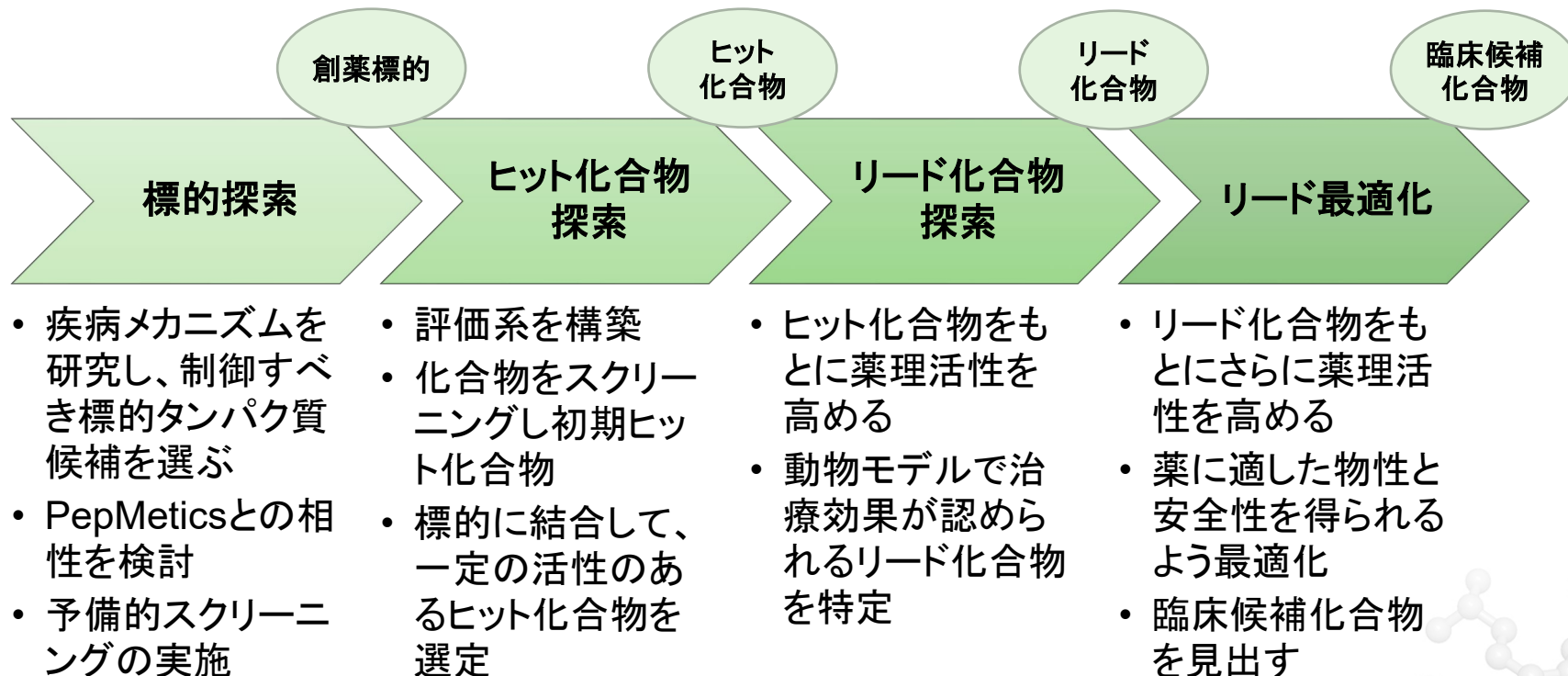
05 進捗するパイプライン

06 成長戦略



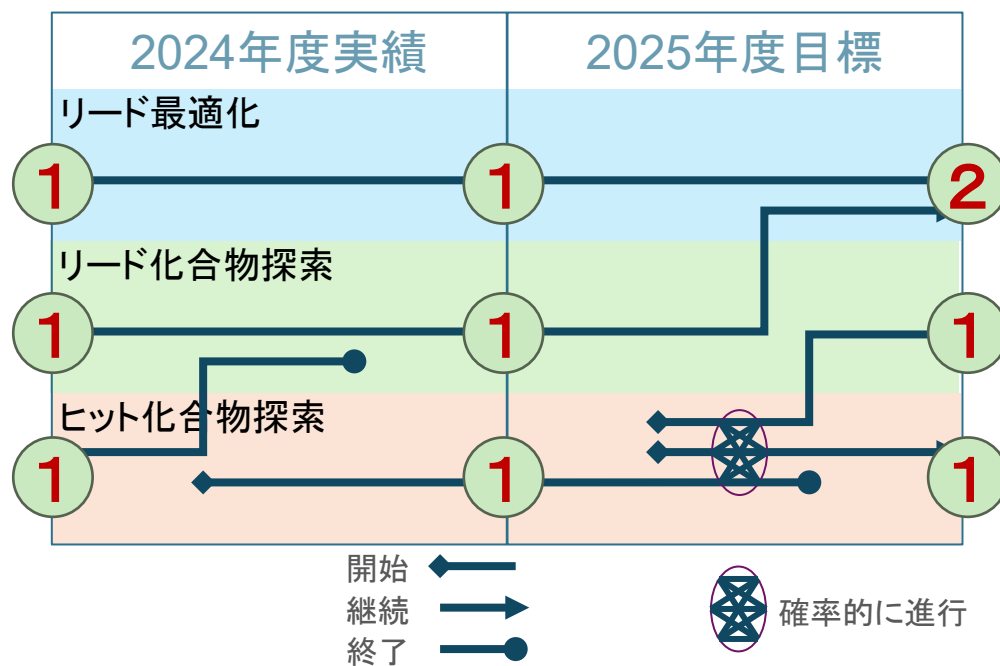
事業進捗を示す指標：段階別プログラム数の推移

- ◎ 研究開発の各段階のプログラム数を進捗の指標として開示
- ◎ 実質的に推進可能な数の中で質が高いパイプラインの構築を目指す



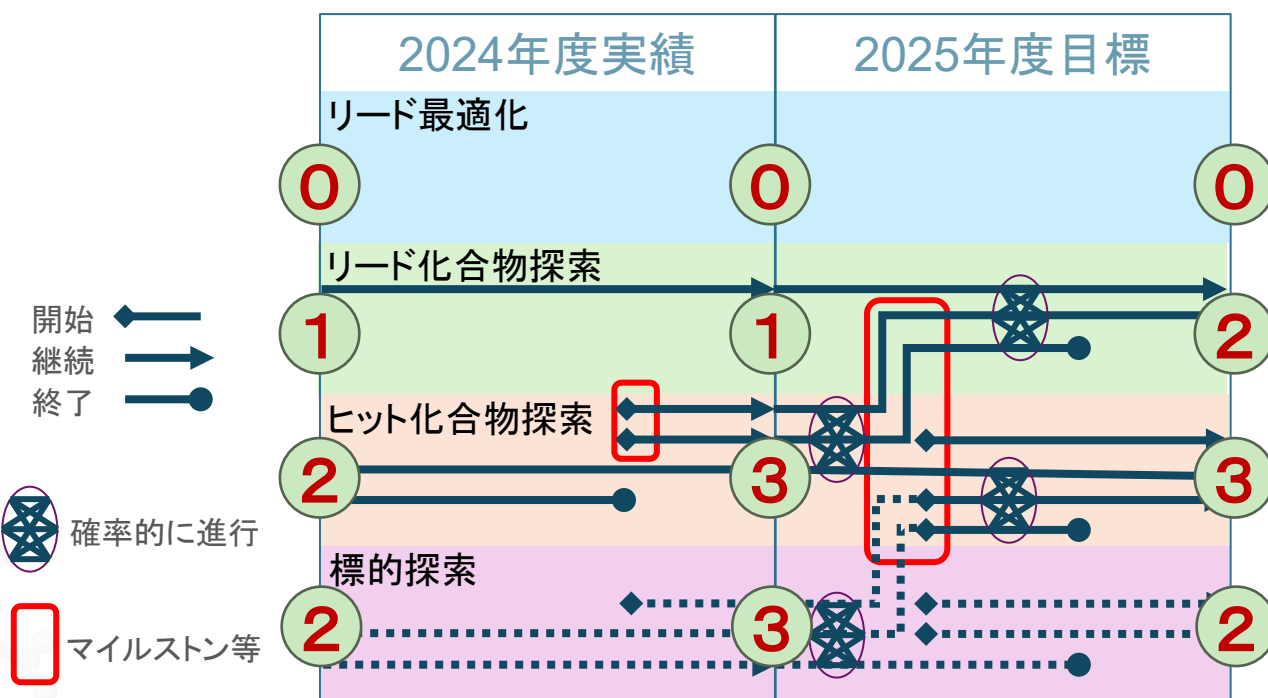
自社開発事業

- ◎ 標的探索を定常的に行い、数多くの標的候補から絞り込んだプログラムをSAB(科学諮問委員会: Scientific Advisory Board)に諮問
- ◎ 2024年度は1件の開始
- ◎ 2025年度は2件のプログラム開始を目指す



共同開発プロジェクト

- ◎ 2024年度にEli Lilly社、小野薬品工業との共同開発を開始
- ◎ 2025年度は3本のヒット化合物探索の開始とプログラムの進捗を目指す



※ 契約形態により、標的探索から開始する場合とヒット化合物探索から開始する場合があります。

創薬基盤の継続的な進化

PPI創薬を実用化するための最新技術を活用、効率的な開発を進める

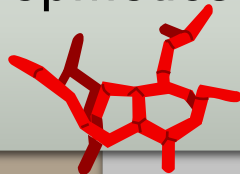
AI・情報科学

- ・ インシリコ創薬 ⇒ 全プログラムで活用
- ・ 物性の予測 ⇒ 実用化・運用
- ・ 活性の予測 ⇒ AIベンチャーと共同研究

評価技術

- ・ PPIに適した薬理評価
- ・ 構造生物学的手法
- ・ 生物物理学的手法
- ・ HTS※の内製化

PepMetrics



創薬標的

- ・ 年間2本の自社開発標的
- ・ SABによる標的の検証
- ・ トランスレーショナル創薬

化合物空間

- ・ ライブラリーの拡充
- ・ 新規合成ルートの実験
- ・ 新たな骨格の開発

創薬業界のパラダイムシフト

創薬はこれまで数々の技術革新により進化してきた

19世紀

20世紀

21世紀

天然物: 植物、ハーブ、漢方等

1806年: 有効成分の単離(モルヒネ)

1897年: 低分子化合物の合成(アスピリン)

1982年: タンパク質医薬(インスリン、造血因子)

1997年: 抗体医薬(リツキシマブ)

2001年: 分子標的キナーゼ阻害剤(イマチニブ)

2011年: 免疫チェックポイント阻害剤
(イピリムマブ、ニボルマブ)

2020年: mRNA(COVID-19ワクチン)

これらのパラダイムシフトを作り上げた
バイオテックは大きな成長を遂げている

Genentech

AMGEN

Biogen

moderna

BIONTECH

PRISM
BioLab

低分子による細胞内PPI※制御
(PPI: タンパク質間相互作用)

ありがとうございました