

2024年11月26日

会社名 株式会社 ペルセウスプロテオミクス  
代表者名 代表取締役社長 執行役員 横川 拓哉  
(コード番号：4882 東証グロース)  
問合せ先 取締役執行役員 管理部長 鈴木 信一  
(TEL. 03-6264-8224)

## 2025年3月期第2四半期決算説明会書き起こし記事公開のお知らせ

当社は、株主、投資家及びステークホルダーの皆様への公平な情報開示の観点から、2024年11月18日に開催した機関投資家向け決算説明会の質疑応答を含む書き起こし記事を公開いたします。なお、ご理解いただきやすいよう、一部内容の加筆・修正を行っております。

当社は引き続き、全てのステークホルダーの皆様にご理解を深めていただけるよう、情報発信に努めてまいります。

以上

株式会社パールセウスプロテオミクス

(証券コード： 4882)

2025年3月期第2四半期 決算説明会 書き起こし

開催日時： 2024年11月18日 16:00～16:55

開催方法： オンライン

登壇者： 代表取締役社長 横川 拓哉  
取締役管理部長 鈴川 信一

01	当社について
02	2025年3月期の計画に対する進捗
03	トピックス
04	2025年3月期第2四半期決算概況
05	当社の目指す姿と取り組み

**横川：**

皆さん、本日はご参加いただきまして誠にありがとうございます。  
ペルセウスプロテオミクス代表取締役社長の横川です。

それでは、これより2025年3月期の第2四半期決算についてご説明させていただきます。  
本日は、こちらの目次に従ってご説明したいと思います。

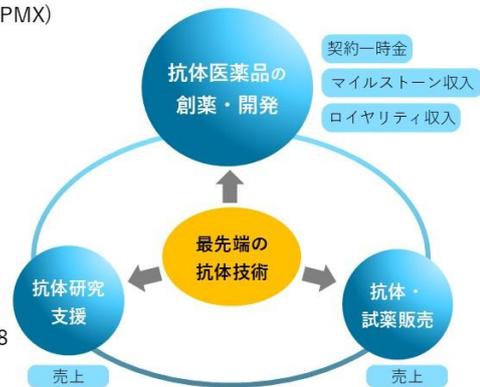
## 会社概要



### 最先端の抗体技術で世界の医療に貢献する会社です

社名	株式会社ペルセウスプロテオミクス（略称：PPMX）
設立	2001年2月
事業内容	<ul style="list-style-type: none"><li>● 抗体医薬品の開発</li><li>● 抗体研究支援</li><li>● 抗体・試薬販売</li></ul>
証券コード	4882
拠点	本社・ラボ：東京都中央区日本橋箱崎町30-1 名古屋ラボ：愛知県名古屋市千種区千種2-22-8
資本金	2,436百万円*
従業員	29名*

\* 2024.9.30現在



4

最初に会社概要です。

当社は最先端の抗体技術で世界の医療に貢献することを目指す会社です。

2001年2月に設立され、事業内容は記載のとおりです。

スライド右側、オレンジ色の丸の中に最先端の抗体技術とあります。

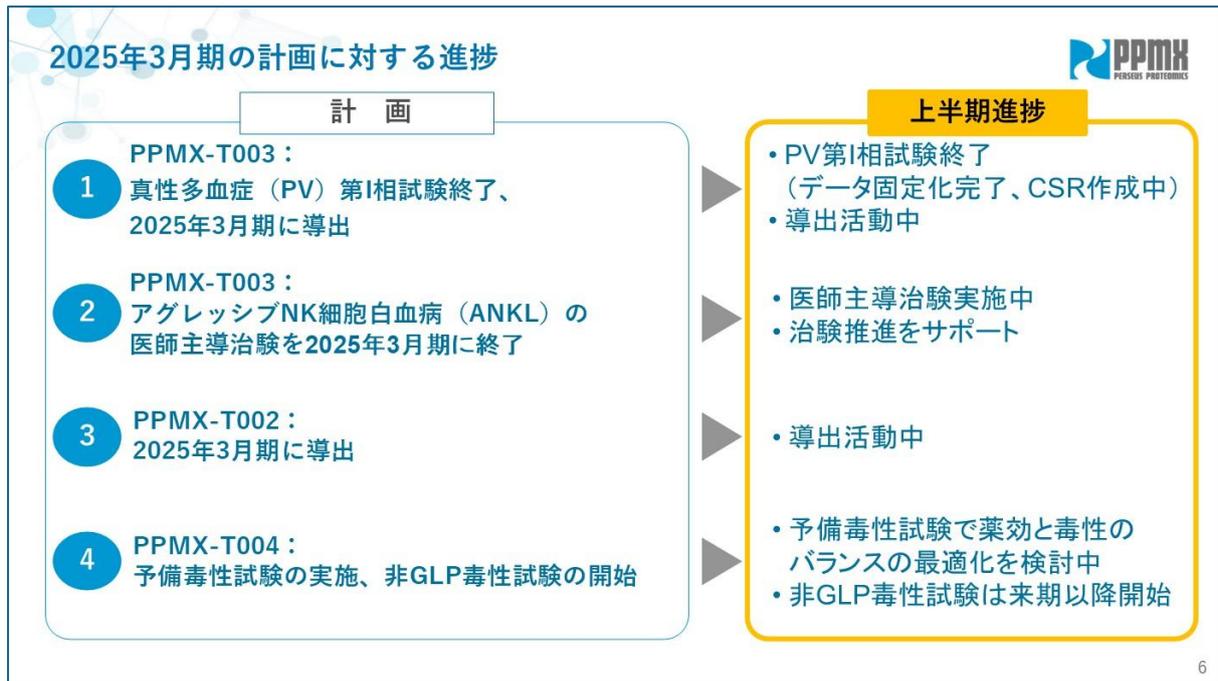
こちらが当社のコアの技術になります。

これをもとにした抗体医薬品の創薬と開発がメインの事業です。

また最先端の抗体技術を抗体研究支援に活かし、アカデミアや企業の抗体に関する研究を支援する受託研究の事業がございます。

さらに、抗体の試薬販売ということで世界の研究者にタンパク質、抗体の検出等に使用する研究用の試薬を供給しております。

証券コードは4882、9月末の従業員数は29名の会社です。



続きまして、2025年3月期の計画に対する進捗についてご説明します。

2025年3月期の計画は、主なものが左に書いてある4点です。それぞれの上半期の進捗を、右側に書いてあります。

まず一点目、PPMX-T003 真性多血症（PV）の第I相試験の終了および2025年3月期のT003の導出を計画に挙げております。

これにつきましてPVの第I相試験、これは既に終了しています。現在データの固定化も完了し、CSRの作成中です。また導出活動を既に行っているところです。

2点目、PPMX-T003 アグレッシブNK細胞白血病（ANKL）の医師主導治験を2025年3月期に終了という計画です。

こちらにつきましては、医師主導治験を現在も実施中です。また医師主導治験の推進を当社としてサポートしています。

3点目、PPMX-T002も2025年3月期に導出するという計画です。現在、導出活動を行っている状況です。

4点目、PPMX-T004は予備毒性試験を実施し、非GLP毒性試験を開始する計画でした。予定どおり予備毒性試験を実施していますが、薬効と毒性のバランスの最適化を検討中であり、非GLP毒性試験は少し遅れて来期以降に開始する予定です。

## パイプラインの状況



当社コード	対象疾患	研究開発		治験			承認	市場規模 (2024年予測)
		創薬研究	非臨床試験	P1	P2	P3		
PPMX-T003	PV	[Progress bar]			~FY2025/3 導出			2,822億円*1
	ANKL	[Progress bar]						—
PPMX-T002	固形がん (卵巣がん等)	RI抗体 (Y)						7,982億円*2
		RI抗体 (Ac)			~FY2025/3 導出			
PPMX-T004	固形がん (卵巣がん等)	ADC						7,982億円*2
		ADC						

\*1 主要7市場の合計（日・米・欧州5か国）、出典：(株)グローバルインフォメーション「真性多血症—市場考察、疫学、市場予測（2032年）」レート：USD1=JPY147  
\*2 出典：Evaluate Pharma Ovarian Cancer WW Market Value (2021年)、卵巣がんのみ

7

パイプラインの状況をまとめたものがこちらのスライドです。

PPMX-T003 は PV の第 I 相試験が終了して今期に導出する計画で、ANKL は医師主導治験フェーズ I/II を進行中です。

T002 は現在アクチニウム ( $^{225}\text{Ac}$ ) 体の非臨床試験の段階で、今期 2025 年 3 月期に導出の計画です。

また、T004 につきましては現在創薬研究段階にあります。  
それでは個々の項目について詳しくご説明したいと思います。

1

## PPMX-T003 : PV 第I相試験終了、導出活動中



8

まず PPMX-T003 の PV は 2021 年 3 月に、健常人での第 I 相試験を終えて、その後、患者さんでの第 I 相試験を実施し、先日終了したところです。

現在そのデータの固定化が完了し、治験総括報告書（CSR）を策定中、これらをもちまして今期中の導出を計画しております。

1

## PPMX-T003 : PV

第66回ASH（米国血液学会）年次総会などでPPMX-T003に注目



2024年4月以降のPPMX-T003  
学会発表

日本 2024年7月13～14日 第14回JSH International Symposium 2024

New

米国 2024年12月7～10日 第66回ASH年次総会



世界最大の血液学会に2年連続で採択

URL: <https://ash.confex.com/ash/2024/webprogram/Paper206911.html>

タイトル: Phase I Safety Study of Anti-Transferrin Receptor 1 Antibody (PPMX-T003) in Patients with Polycythemia Vera and Erythrocythemia  
(抗トランスフェリン受容体1抗体 (PPMX-T003) のPV患者における第I相試験)

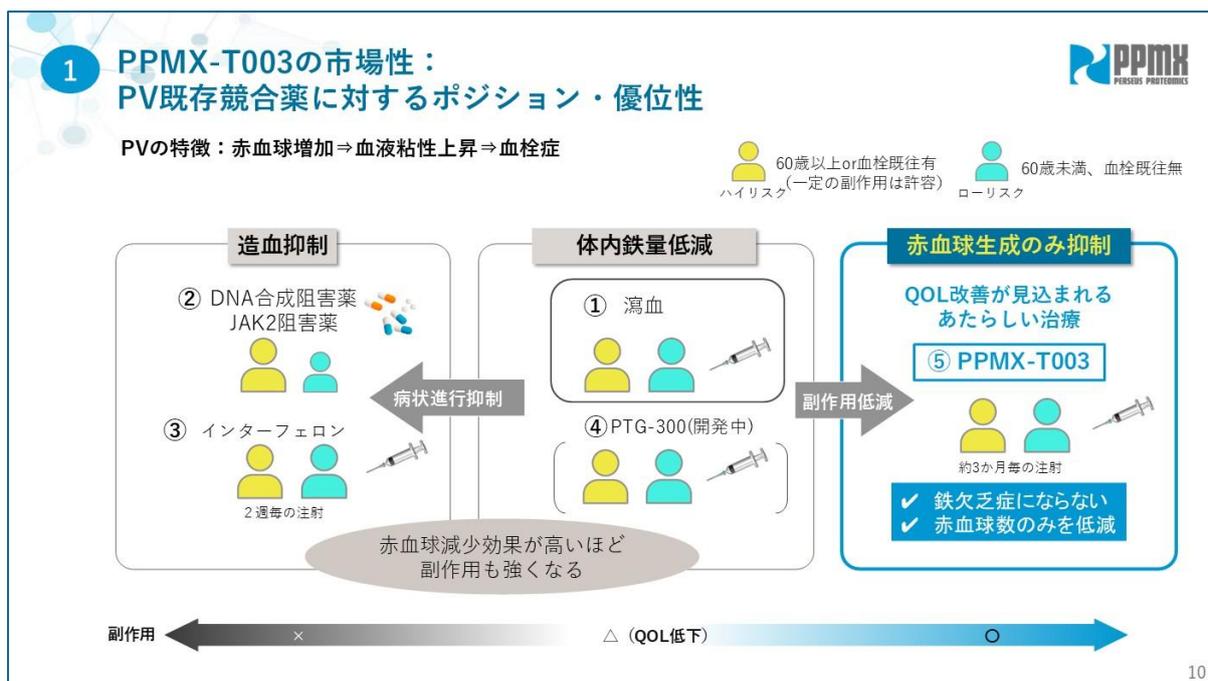
- PV患者さんの第I相試験の結果を報告予定

9

また同じく T003 の PV に関する学会発表等ですが、今年の7月には第14回JSH国際シンポジウムという日本での国際会議で5例目までの患者さんのデータを報告したところです。

さらに、今年の12月7日から行われる、第66回ASHの年次総会でも発表が決まっております。

ASHは米国血液学会のことで、世界最大の血液学会です。発表させていただくのも狭き門ですが、昨年と同じ時期に中間報告という形で発表させていただき、2年連続で今年も採択されました。PVのT003の第I相試験の結果全体を報告する機会に恵まれたことは、非常に名誉なことであり、来月の発表に非常に期待しているところです。



T003 の PV 真性多血症におけるポジションについて、このスライドで説明したいと思います。  
PV は血液中の赤血球が増えすぎて、血液粘度が高くなってドロドロになり、血栓症を起こすという病気です。

血栓症ですから脳梗塞や、心筋梗塞を誘発する可能性があります。  
この治療方法は血液中の赤血球の数を減らすことです。

代表的な方法は、体内の鉄量を低減するという方法で、古くからのスタンダードな方法は瀉血というもので、1～3か月の定期的な間隔で患者さんから血液を抜く、例えば400ccを1～2か月おきに抜くという、献血のような形の治療です。  
これがメインの治療ですが、コントロールが難しいです。

さらにもう一つの治療戦略として、造血抑制があります。  
これは赤血球を作る大元の細胞を減らすことによって、結果として赤血球を減らすもので、DNA合成阻害剤、JAK2阻害剤などの抗がん剤カテゴリーの薬を投与することがあります。  
その他、インターフェロンも使われております。

これらの方法は血液中の赤血球を作る細胞を減らすか、または赤血球の原料となる鉄を減らすというものでした。  
一方、PTG-300という開発中の医薬品は、体内の循環鉄量を減らす機能であると報告されています。

これらの既存薬あるいは開発中の薬剤に対して、当社のPPMX-T003は従来にない新しい機序です。  
赤血球の生成のみを抑制するというもので、赤血球の元となる細胞が鉄を取り込むのを抑制する機能です。その結果、鉄欠乏症に至ったり、あるいは赤血球以外の血球を減らしたりする、そのような副作用が一切なく、赤血球だけを減らすことが期待されます。

まだ開発途中ですから全てがわかっているわけではないですが、既に臨床試験の結果からその機能がかなり見え始めています。既存薬に対して副作用が少なく、QOLの低下を招くことなく多血症を治せる薬として期待しております。

# 1 PPMX-T003の市場性： PV治療薬の導出事例



事例	導出*2 (2023年8月)	導出*3 (2023年1月)	導出*4 (2024年1月)
開発品名	TMPRSS6を標的とするsiRNA	MWTX-003/DISC-3405	PTG-300
開発企業	Alnylam Pharmaceuticals (米)	Mabwell Therapeutics (中)	Protagonist Therapeutics(米)
導入側	Agios Pharmaceuticals (米)	Disc Medicine (米)	武田薬品工業
対象疾患	PV	PV、βサラセミア	PV
開発段階	前臨床	P1	P3
契約金*1 (億円)	+ 商用マイルストーン + ロイヤリティ 	+ 2桁%ロイヤリティ 	+ 開発・商用マイルストーン + ロイヤリティ 

\*1 レート： USD1=JPY147  
 \*2 Agios Pharmaceuticals社 2023年8月3日付 "Agios Announces Exclusive Worldwide License Agreement with Alnylam for Novel siRNA for the Potential Treatment of Polycythemia Vera"  
 \*3 Disc Medicine社 2023年1月20日付 "Disc Medicine Announces Exclusive Licensing Agreement with Mabwell Therapeutics for Novel Anti-TMPRSS6 Monoclonal Antibodies to Modulate Iron Homeostasis" \*4 武田薬品工業社 2024年1月31日付 "Takeda and Protagonist Therapeutics, Inc. Enter into Worldwide License and Collaboration Agreement for Rusfertide, a Late-Stage Rare Hematology Asset"

PV の治療薬の開発状況ですが、ここに3つの薬剤とそのフェーズを書いています。  
 左側は前臨床薬剤でアップフロント26億円、トータルのマイルストーンで217億円というディールが昨年8月にありました。

真ん中はフェーズIですがアップフロント15億円、マイルストーンを含めた全体で621億円。

一番右は、先ほど少しご説明したPTG-300で、武田薬品社が導入し441億円という大きなディールで取引されています。これは既にフェーズIIIまで進んでいます。

## ANKLとは

## ● 予後不良

50%生存期間 = 58日 (約2か月)

## ● 超希少疾患

2020年 国内発症13例

東アジア、中南米でも発症例

疾患認知度向上に伴い、今後症例数増加の可能性も

## ● AYA世代 (15~39歳)、40代に多い

## ● 有効な治療薬が存在しない

## AMEDからの助成金\*

2023年3月期：	58百万円	受領済
2024年3月期：	107百万円	受領済
2025年3月期：	110百万円	予定
合計(最大)：	275百万円	

\*希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業による

12

続いて2点目のPPMX-T003、ANKLについてご説明します。ANKLは予後不良の白血病の一種で、50%の生存率が約2ヶ月という非常に厳しい病気です。

超希少疾患で患者さんが少ないことも知られており、2022年の記録では国内の発症はわずか13名です。世界的には、日本を含む東アジアや中南米で発症例が報告されています。

今後、この疾患の認知度が向上するに従って、症例数が増加する可能性もあります。

またもう一つの特徴は、AYA世代の比較的若い年齢の患者さんと40代以降の患者さんに多いことです。現時点で有効な治療法がなく、いくつかの対症療法的な治療しか行われていません。

当社のT003に対してはAMEDから3年間で2億7,500万円の助成をいただき、医師主導治験を現在行っています。

2

## PPMX-T003 : ANKL

医師主導治験(P1/2、n=7)を継続的に実施中



13

この治験を行うために、まず全国7つの拠点病院でのネットワークを構築しまして、日本全国で患者さんが見出されたときは近くの拠点病院ですぐに治験に参加できるように、血液内科の先生方を中心に情報交換をさせていただいております。

この治験で複数の良好な結果が出た場合は、オーファンドラッグの申請を行い、世界初のANKL治療薬としての承認を目指しております。

2

## PPMX-T003 : ANKL がん領域での効果認定でT003の適応拡大へ



出典：\*1 グローバルインフォメーション「真性多血症 - 市場考察、疫学、市場予測（2032年）」主要7市場の合計（日・米・欧州5か国）  
 \*2 WHO, "Blood Reviews" Volume 36, Epidemiology of acute myeloid leukemia: Recent progress and enduring challenges"を基に当社で推定  
 \*3 WHO \*4: World Cancer Research Fund International (2020)

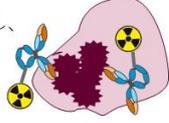
ANKL 治験のもたらす効果として、厳しい血液疾患である ANKL に対する投与方法等がその他の血液がんにもかなり応用可能だと考えております。三大血液がんのうちの一つである AML あるいはリンパ腫は世界的に患者さんも非常に多いのですが、今後これらへの適用拡大、あるいは固形がんへの適用も可能ではないかということで、アカデミアの先生方と基礎的な共同研究を進めている状況です。

**PPMX**  
PERSIS PROTEOMICS

### 3 PPMX-T002 : 抗体はそのまま活用し、より効果が高い<sup>225</sup>Acに変更 導出活動中

**1 RI標識抗体の働き**  
がん細胞

CDH3に抗体が集積し、RIががん細胞を殺傷



**2 PPMX-T002の構成**

がんへの集積を確認済 (米国でのP2治験実績)



抗体 RI

<sup>90</sup>Y (β線) ⇒ <sup>225</sup>Ac (α線) に置き換えて治療効果を向上

**3 上半期の実施内容**

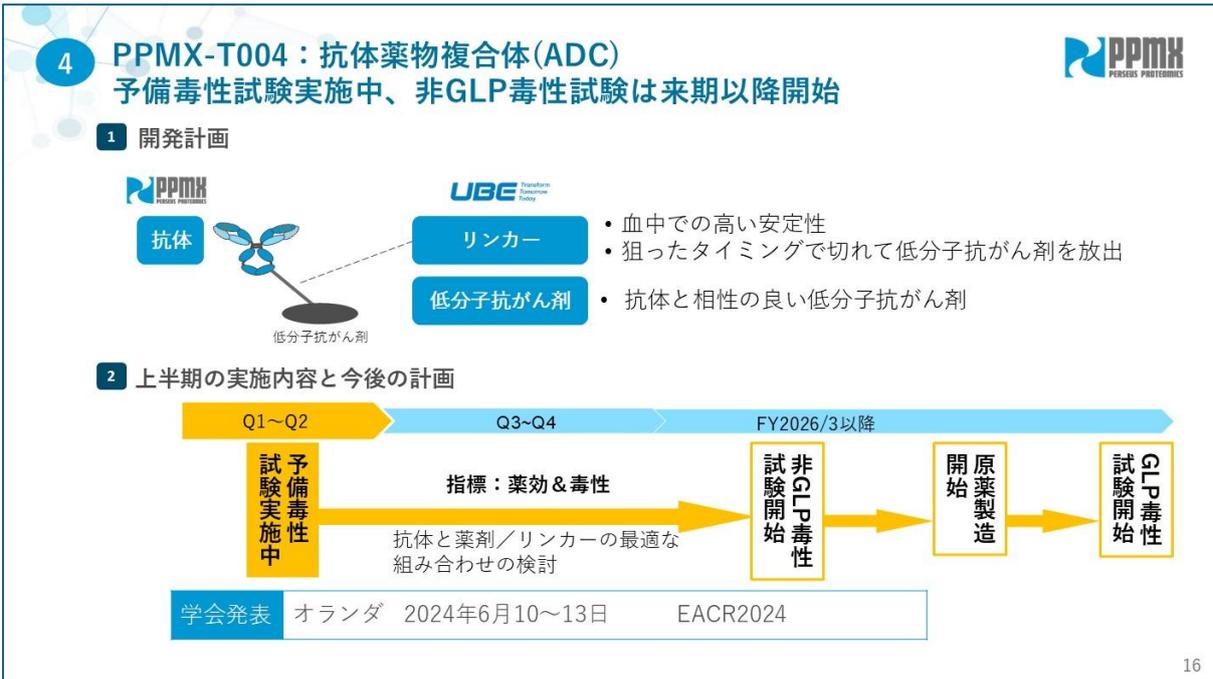
Q1~Q2	Q3~Q4
開発戦略を検討 導出先候補と	導出先の決定 導出
学会発表	ドイツ 2024年10月19~23日 EANM'24

15

続きまして3点目、PPMX-T002は抗体に放射線を発する化合物が結合した薬剤です。β線のイットリウム90 (<sup>90</sup>Y) ではアメリカで日本のフェーズII相当のところまで治験が行われておりましたが、導出先の富士フィルム社の都合でライセンスバックされました。

当社ではβ線を出す<sup>90</sup>Yを最新の技術であるα線を放出する<sup>225</sup>Acに置き換えて、治療効果を向上させつつ、その確認をしましたので導出活動を行っているという状況です。

こちらについては10月にドイツで行われました欧州核医学学会で、その強力な治療効果について発表したところです。これについては今期末までに導出する計画で現在進めております。



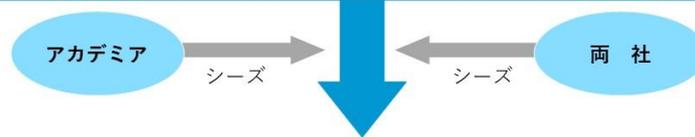
4点目のT004はADCです。  
 ADCは第一三共社のエンハーツをきっかけに、世界中で盛んに開発されています。

当社のCDH3というユニークな抗体にUBE社のリンカーおよび低分子抗がん剤を結合した新規のADCとして、研究開発を進めております。

現在、予備毒性試験の評価を行っておりまして強い薬効が確認できていますが、その薬効と毒性のバランスの最適化に少し時間を要しております。  
 若干計画より遅れておりますが来期以降、この最適化を完了後、非GLP毒性試験を開始します。

なお、この薬剤の強い薬効についても、6月にオランダで行われた欧州のがん学会でその成果を発表しております。

## UBE社とのADCに関する共同研究契約締結



様々ながんに対するADCを共同で研究開発



(グローバルデータ社: 2024年3月『抗体薬物複合体 (ADC) : 市場概要』)

18

続きましてトピックスについて二つご報告させていただきます。

一つは、先ほども話に出た UBE 社と当社が、この度 ADC に関する共同研究契約を締結したことです。

UBE 社は合成化学で長い歴史と実績のある一流企業であり、今 ADC に使う新規のリンカーと低分子抗がん剤の研究を行っています。

それらと当社の CDH3 の抗体を結合した ADC、T004 を現在開発しているところですが、T004 に限らず、もっと広げて、日本のアカデミアで持っているいろいろなシーズで新規の ADC を作り、UBE 社と当社がそれぞれ持っているシーズや技術シーズ、これを合わせて今後様々ながんに対する ADC を共同で早く開発していこうという趣旨の共同研究契約です。

先ほども申し上げたように、製薬業界は今非常に競争が盛んで、例えば世界の ADC 市場は、2029 年には現在の 4 倍以上に成長するという予想もされており、非常に盛んに研究されているところです。当社もパートナーと一緒に ADC を生み出していきたいと考えております。

抗体・試薬販売と抗体研究支援事業  
創薬技術を活かした新製品・新サービス導入で収益向上を目指す



**抗体・試薬販売** ADC研究用抗体を販売開始。今期中に疾患研究用新製品も発表予定

<b>ADC</b> 研究用 ● <b>New</b> 抗MMAE抗体 抗DM1抗体	<b>RIT</b> 研究用 ● 抗DOTA抗体	<b>疾患</b> 研究用 ● <b>New</b> 抗GPCR抗体(予定) 抗mAQP4抗体
--	-----------------------------	---

**抗体研究支援** 今期中にサービスメニューを拡充予定

組換え抗体生産	配列解析	組換え抗体作製
---------	------	---------

**シングルセル・クローニング技術**

- シングルセル遺伝子解析
- 希少細胞の回収
- 遺伝子導入後の細胞クローニング

**VHH抗体スクリーニング技術**

- **New** 組換え抗体作製(予定)

19

もう一つトピックスとして抗体・試薬販売、抗体研究支援事業での進捗がありましたので報告したいと思います。

まず抗体・試薬販売ですが、ADC用によく使われる非常に有名なMMAEという低分子抗がん剤を検出するためのMMAE抗体をこのたび発売しまして、世界のADCの研究者に対して実験ツールとして提供しているというものです。

それから抗GPCR抗体はGPCRの疾患研究用の試薬として、近く発売する予定です。

また抗体研究支援については、VHHの抗体スクリーニング技術を用いた組換え抗体の作成を今後メニューに取り込む計画です。

それでは次に、2025年3月期第2四半期の決算状況を鈴川取締役の方から説明します。

## 2025年3月期第2四半期 業績



### ● 損益計算書

(単位：百万円)

	FY2024/3 上半期	FY2025/3 上半期	
売上高	50	59	抗体研究支援 抗体・試薬販売
売上総利益	45	55	
販売管理費	489	469	
研究開発費	303	304	PPMX-T003 ANKL治験 PPMX-T003PV治験
その他	186	164	
営業利益	△444	△414	
経常利益	△429	△427	
特別損失	203	66	設備投資の減損損失
純利益	△633	△495	

- 売上高：前年同期比16.6%増
- 研究開発費：PPMX-T003のANKL第I/II相医師主導試験費用、PV患者さん第I相試験費用等  
PPMX-T004は抗体と薬物/リンカーの組み合わせの最適化に遅れ

21

### 鈴川：

それでは、業績から説明させていただきます。

売上高は前期に比べて900万円増額し、5,900万円となりました。

そのうち抗体研究支援は370万円、抗体・試薬販売は前期に比べ28.4%増加し、5560万円でした。

販売管理費は前期に比べ2,000万円減少し、4億6,900万円です。

大きな支出項目はT003のANKL治験、PV治験の実施ですが、T004の抗体薬物の組み合わせの最適化作業の遅延が生じており、費用は想定より減少しております。

その他管理費は2,200万円減少し、1億6,400万円となりました。

営業損失、経常損失はそれぞれ4億1,400万円、4億2,700万円です。

特別損失は昨年と比べ1億3,700万円減少し、6,600万円となりました。当社は赤字が継続しており、研究機器を中心とする設備投資額全額を減損損失として特別損失に計上しています。

前期の特別損失2億300万円は、主としてオフィス・ラボの移転による固定資産移転費用の減損を行ったためです。純損失は前期に比べて1億3,800万円減少し、4億9,500万円でした。

## 2025年3月期第2四半期 財務状況



### ● 貸借対照表

(単位：百万円)

資産の部			負債の部		
	2024/3/31	2024/9/30		2024/3/31	2024/9/30
現金及び預金	1,541	2,086	流動負債	128	136
流動資産合計	1,650	2,148	固定負債	166	216
固定資産	42	42	負債合計	295	353
資産合計	1,693	2,191	純資産合計	1,398	1,838
			負債純資産合計	1,693	2,191

- 現預金：資金調達による増加
- 固定負債：PPMX-T003（ANKL治療薬開発）のAMED創薬事業採択による長期預り金
- 自己資本比率：80.3%

22

次に財務状況についてご説明します。

現金および預金は、2024年3月31日時点に比べて5億4,500万円増加し、9月30日時点で20億8,600万円となりました。3月から7月に実施した新株予約権による資金調達が増加の要因です。負債の部は、固定負債が前期比5,000万円増額した結果、2億1,600万円となりました。これはANKLに対するAMEDからの補助金を預り金として計上したためです。

以上、第2四半期決算概要につきましてご説明しました。

## 第28回新株予約権による資金調達



第28回新株予約権	
割当日	2024年3月7日
割当先	パークレイズ・バンク
潜在株式数	2,900,000株（2023年12月31日時点の発行済株式総数に対し24.51%）
発行価額	総額1,566,000円（新株予約権1個あたり54円）
調達額（手取）	約9.5億円
行使期間	2024年3月8日～7月1日（完了）
当初行使価額	536円
行使価額の修正	行使請求の効力発生日の直前取引日東証終値の93.5%に相当する金額に修正
下限行使価額	268円（発行決議日直前取引日（2月19日）の東証終値の50%に相当する金額）

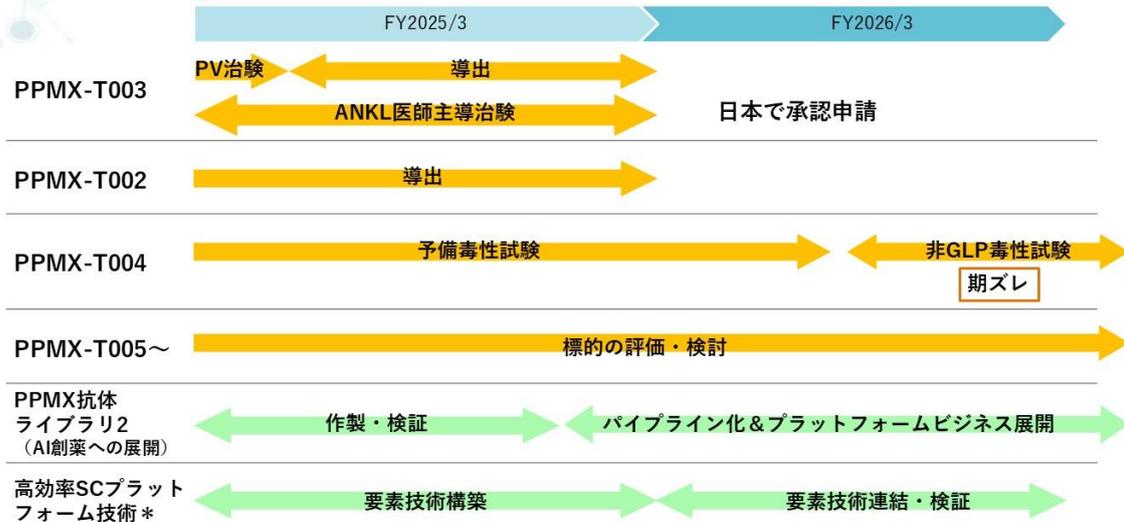
23

次に第28回新株予約権による資金調達についてご説明します。

割当日を3月7日として、翌3月8日から7月1日までに290万株全てが行使され、調達額は手取りで約9億5,000万円となりました。

私からの説明は以上です。

## 今後の成長計画



\* TOKYO戦略的イノベーション促進事業採択

25

### 横川：

それでは5番目の項目、当社の目指す姿と取り組みについて、横川よりご説明します。

まず、今後の成長戦略の全体像ですが、PPMX-T003、T002は今期中に導出する計画を推進してまいります。

ADCのPPMX-T004は少し遅れていますが、予備毒性試験終了後、非GLP毒性試験を来期以降に実施して次の主力のパイプラインに持っていきたいと思っています。

また、次のパイプラインであるPPMX-T005以降ですが、複数の標的の評価、あるいは基礎的な検討を既に始めており、決定しましたらT005として開発パイプラインに加える予定です。

下の二つの緑のバーは、当社の基盤技術に関するものです。

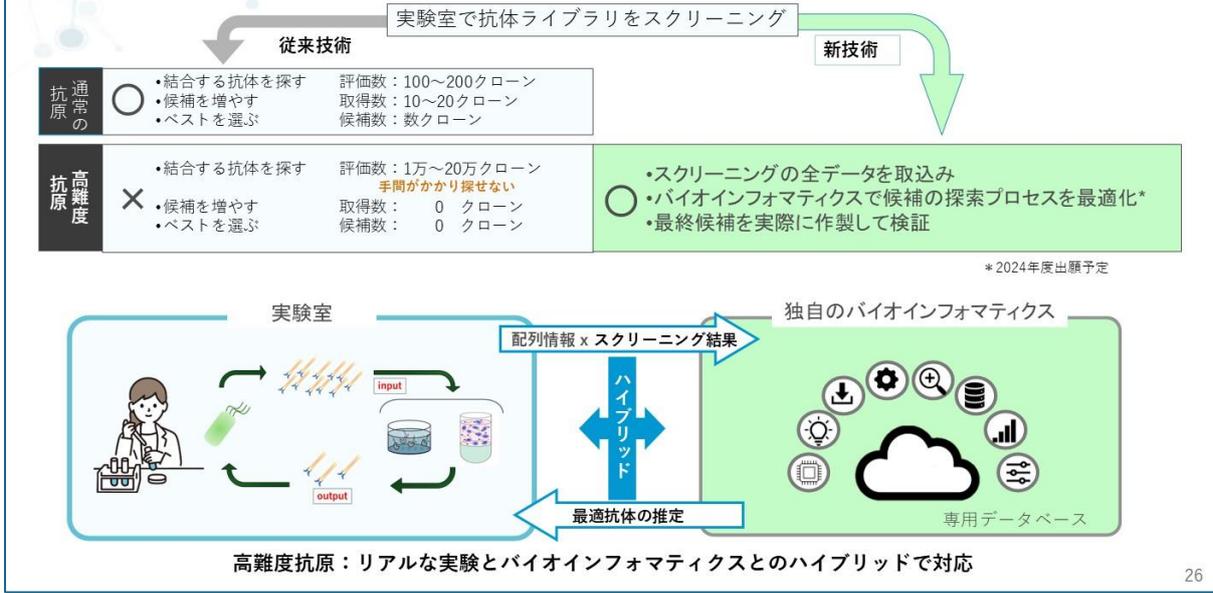
PPMX抗体ライブラリ2というのはAI創薬への展開も考慮した新しいタイプのライブラリで、作製と検証がまもなく終了するところです。

このライブラリをベースに新しいパイプラインの構築、あるいはこれを使った抗体のプラットフォームビジネスも展開していきたいと考えております。

また、一番下の高効率シングルセルプラットフォーム技術は、東京都のTOKYO戦略的イノベーション促進事業に採択され、助成を受けて開発しているものです。

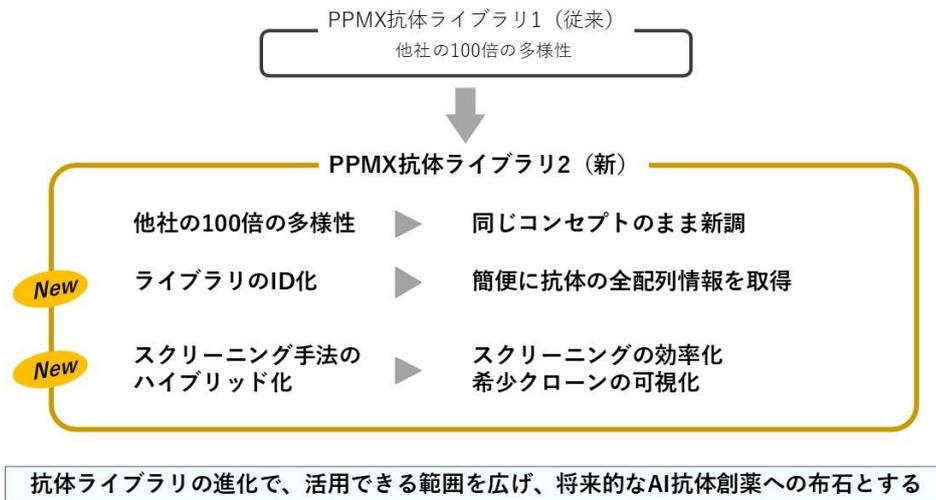
現在要素技術の構築中ですが、2年間で要素技術を固めてビジネスに展開していきます。内容としては、抗体取得にかかる半年から1年の時間をぐっと短縮するもので、様々な技術を組み合わせて、抗体の取得速度を早める技術開発です。

今後の標的は難病などの高難度抗原。いかに早く抗体を見つけるかが勝負



今後の抗体の取得に関しては、多くの抗体が既に取得・認識されていますが、本当に難しい病気についてはまだ見つかっていないかったり、抗原が既に見つかっていても非常に取得困難で取れていなかったりと、取得すべき抗体は実はまだまだたくさんあります。従来の普通のスクリーニング方法では、膨大な時間がかかってなかなか良い抗体が得られないというのが現実です。

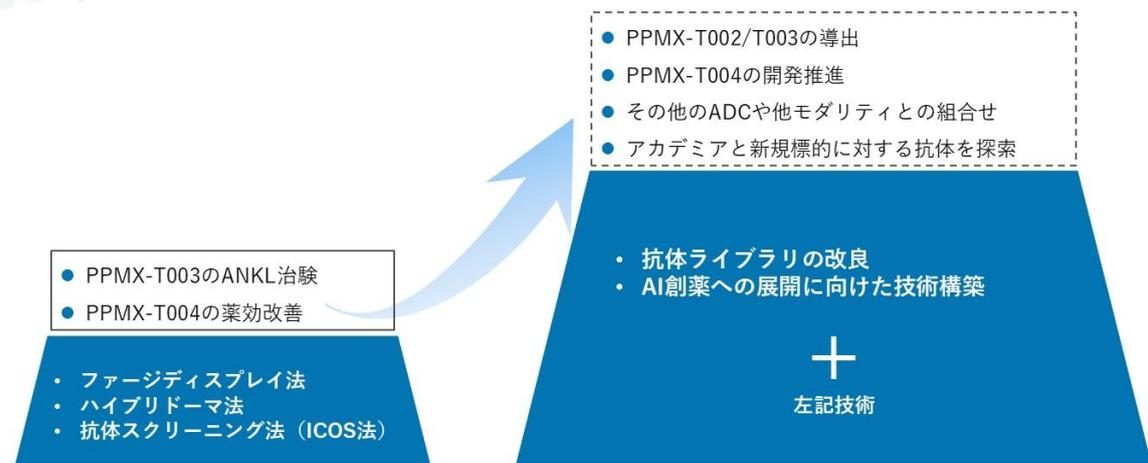
当社では今、新技術として抗体配列情報とスクリーニング結果の全てのデータをデータベースに取り込み、独自のバイオインフォマティクスで、次の抗体あるいは未知の抗体の探索プロセスを最適化して見だしていく、つまりある程度社内のデータベースから予想することを試みております。その予想推定抗体を実際に作製し、さらにデータベースで最適化するという、リアルの実験とバイオインフォマティクスによる推定解析のハイブリッドで、この間を往復しながら、一番良い抗体を他社よりずっと早く見出ししていくという手法です。



\*ライブラリのID化：2023年度末特許出願済、in silico screening：2024年度出願予定 27

そのために PPMX ライブラリ 2 という新しいライブラリが必要ですが、その構築がまもなく完成します。他社の 100 倍近い多様性を持つ従来からの抗体ライブラリはそのまま、それに加えてライブラリを ID 化し、簡便に抗体の全配列情報を取得できます。

またスクリーニング手法のハイブリッド化で先ほどご説明したスクリーニングの効率化、希少クローンの可視化、これを現実になりたいということで、抗体ライブラリの進化によって活用できる範囲を広げて、将来的な AI 抗体創薬への布石とするよう、注力しているところです。



最後のスライドになりますが、現在 PPMX-T003 の ANKL の治験、それから T004 の薬効と毒性のバランス改善を進めております。

今後、ご説明した T002 と T003 の導出、T004 の開発促進、さらにその他 ADC や他のモダリティとの組み合わせ、またアカデミアとの新規標的に対する抗体の探索、これらを実現することによって当社のビジネスを成長・飛躍させていきたいと考えております。

また、当社の根幹技術である、従来のファージディスプレイ、ハイブリドーマ、スクリーニングに加え、抗体ライブラリの改良、さらに AI 創薬への展開に向けた技術構築を進めていきたいと考えております。

今後とも当社へのご支援をよろしくお願いいたします。

## <Q&A>

<b>Q1)</b>	T003、T002の導出の進捗や確度はどうでしょうか。ディール交渉でボトルネックとなっていることはあるのでしょうか。 (※いくつか類似の質問がありましたので、一つにまとめております。)
------------	---

### A1)

導出については様々な要因が関係しますが、最も重要なのは、臨床試験のデータの結果だと考えております。T002とT003は、開発段階に応じた主要なデータがある程度揃っており、それぞれ国際学会でも発表済みまたは発表予定という状況です。

T003のCSRは現在作成中ですが、個別のデータが出そろったところから導出活動が本格化しており、T002については、<sup>225</sup>Acのデータが大体出そろったところからかなり本格化しています。

導出確度は相手先があることで、何とも言えません。当社としては誠心誠意、今期の導出を目指している状況です。現時点では皆様にご報告できる新しい内容はございません。

ディール交渉のボトルネックについては、相手先ごとに関心が違いますので、それぞれいくつかありますが、共通した大きなボトルネックというものは今のところ認識していません。

<b>Q2)</b>	PVの導出交渉に関して、今期中の導出が必達という形なのか、経済条件を考えれば期ズレも十分あるのか、このあたりの舵取りの温度感を教えてください。 市場が年度内導出を意識しすぎるのもどうかと思ひまして、という内容です。
------------	--

### A2)

薬の研究開発をしてきた者としては、タイミングよりもこの薬剤がより多くの患者さんにいち早く届くかどうかを重要だと思っています。

その意味では、まだ我々の薬剤はフェーズⅠなので、この後フェーズⅢまでどうやって展開していただけるかというところを常に重点的に考えてきました。

一方、事業目標の必達も一つの大きな我々の経営指標なので、何とか今期に導出したいと思って進めています。ご指摘のようなどころや、もう少しこうすればいい等、もちろんいつも考えていますが、今のところ今期の導出を目指したいところに優先順位を置いています。

<b>Q3)</b>	AI創薬のテーマで複数のメディアに出演していましたが、実際GoogleのAlphaFoldをどのように使用しているのでしょうか？
------------	--

### A3)

抗体の親和性、どのくらい結合するかと、そういう解析等に用いていた他、T003に関しては、構造解析した結果や結合の仕方をAlphaFoldの推定構造と、当社で取った実際のデータとを比較し、AlphaFoldの実力を検証していたという状況です。

非常に迅速に推定の構造が出ますので、今後は新規開発テーマに対してもかなり積極的に使用していきます。

目では見えない抗体の立体構造は、長い時間とかなりのお金をかけて、高度な解析技術を使えばわかるんですけど、全部はできませんので、それが瞬時に推定構造が見れるようになったということで、その効果は非常に大きいと考えております。

<b>Q4)</b>	ANKL治験の今期終了は予定通りいきそうでしょうか？医師主導治験での申請はハードルが高いように思いますが、当局と何か話はされているのでしょうか？
------------	--

### A4)

ANKLの医師主導治験は、治験調整医師の先生を中心に、7つの拠点病院の先生方とコミュニケーションしながら実施しています。

医師主導治験では、治験が開始したことまではご報告できていますが、その先の進捗は企業側からお伝えできないというルールです。ですから歯切れが悪い言い方ですが、元々AMEDのプログラムの想定期間が3年以内、実質2年半以内の完了という厳しいものであり、今期末までに軽々終わるというものではないということで、引き続き全力で対応されている状況です。

また、医師主導治験での申請のハードルが高いのはご指摘の通りですが、この治験はAMEDのプログラムによって、まず治験薬を開発している我々に助成金をいただき、そこから医師主導治験を委託する形になっています。申請して承認を取るという思いは、長年この病気が治療困難だと認識されている先生方が強くお持ちです。当局との話はこれからですが、我々は結果次第では十分申請できる可能性があると考えています。

<b>Q5)</b>	治療と診断を組み合わせた医療技術であるセラノスティクスはグローバルで盛り上がってきている領域だと思います。導出先の決定交渉の状況についてコメントをお願いします。
------------	--

**A5)**

ご指摘のように、セラノスティクスは今、RIを使った薬では、かなり標準的な考え方になっており、特にバイオベンチャーを中心に診断と治療をセットで行うことが推進されています。

我々も、元々<sup>90Y</sup>ではいわゆる診断と治療の組み合わせで行っておりましたので、その流れに戻っていくと考えております。

導出先の決定交渉については、もちろん診断で患者さんを絞ったり治療成績を上げるという視点で、全ての会社でセラノスティクスを考えていますので、そこは標準的に考慮されています。

ただ、大手製薬では、むしろ治療効果を重点化したいという考えもあるのではないかという印象を持っています。

いずれにしても、セラノスティクスはグローバルで盛り上がり、我々もその流れに乗って、この治療薬の導出交渉をしているというのは間違いありません。

<b>Q6)</b>	治療薬のニーズはあっても、検証試験としての様式を満たしておらず、結局承認申請できないケースが散見されます。ANKLは検証試験（Phase III）の実施が困難であり製造承認申請できないのではないのでしょうか？
------------	--

**A6)**

ANKLは、ほとんどのケースで治療に至っておらず、我々の認識している限り、しばしば診断がつかないこともあるようです。

そういう状況で、今回の治験に参加された患者さんがある程度の治療効果を得られた場合、患者さんのみならず血液内科の先生方にとっても非常に大きなメリットだと評価いただけるのではないかと思います。

一般的に検証試験の実施には多数の症例が必要であり、年間発症例13例の超希少疾患で実施することは現実には不可能です。

一方で、患者さんも先生方も治療方法がなく非常に困っている状況からして、これはそのまま治療に使うべきだという考えもありうるということで、現在はフェーズI/IIで安全性を中心に治療効果も同時に見ています。当局との今後の交渉にもよりますが、試験の結果次第では十分そこまで持っていけるのではないかと考えています。

<b>Q7)</b>	ライブラリと AI 創薬の関連性について、昨今は細胞内の親和性を軸に作成したライブラリなど、独自のライブラリ作成も差別化要素だと思います。 基本的な点で恐縮ですが、当社のライブラリの特徴と AI 創薬との親和性について、もう一度ご解説いただけませんか？特に他社との違いについてコメントいただけると助かります。
------------	---

**A7)**

競合との違いとして、重鎖に多様性を出して、その分、軽鎖の多様性をぐっと絞っているという特徴があります。軽鎖の数はかなり限られているため、そこを固定するタグをつけることで、全長の配列を細かく測らなくても相当程度わかることが既に技術的に認識されています。

それと、色々な結合定数や細胞発生の各種データをデータベースとして相関関係をとっていけば、未知の抗原に対する推定抗体配列を出せるというのが当社の考え方です。強みはがんや、いくつかの絞った領域に対して蓄積している大量のデータがあること、リアルな実験データを使って実施できることです。大手には数と質で負けるかもしれませんが、我々はこの分野で良い抗体を取ってきた実績がありますので、当社のデータベースの作製法にも一日の長があると思っています。現在完成途上ですので、もう少しして結果が出ると、その強みが明らかになるのではと考えています。

END