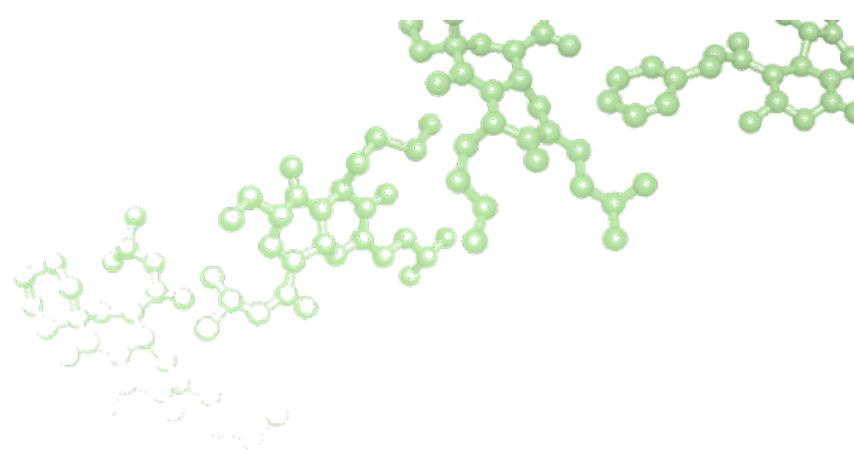




PRISM
BioLab

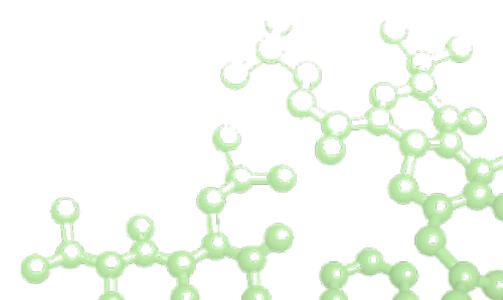
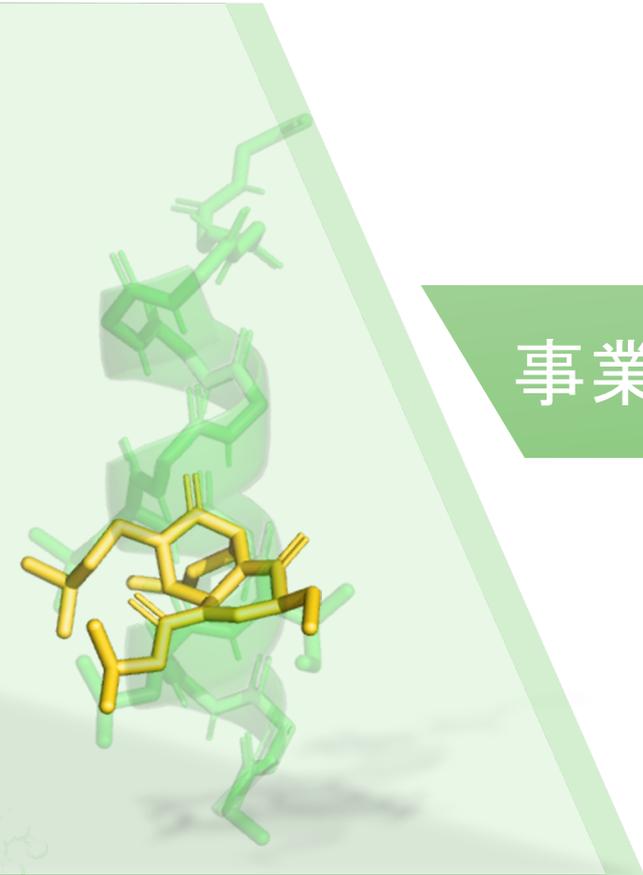


事業計画及び成長可能性に関する説明資料

Leading Drug Discovery Technology Platform for PPI Modulation

December 27, 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。

本資料は、本資料の作成時点における入手可能な業界、市場動向または経済情勢等の情報に基づき作成されたものであり、その後発生する事象に基づき影響を受ける可能性があります。なお、本資料の次回更新は、2025年12月頃を目途として行う予定です。

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」、「する場合がある」、「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。

01 会社概要

02 2024年9月期の業績

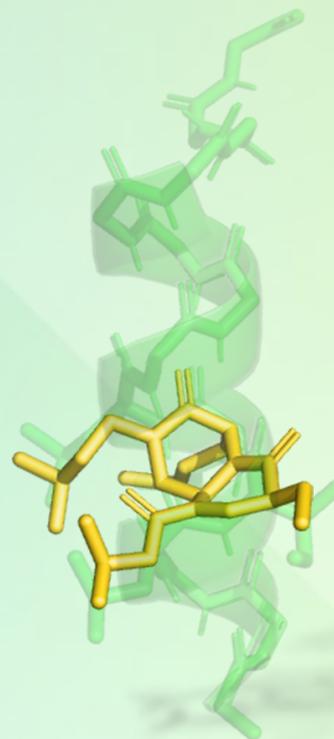
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



01 会社概要

02 2024年9月期の業績

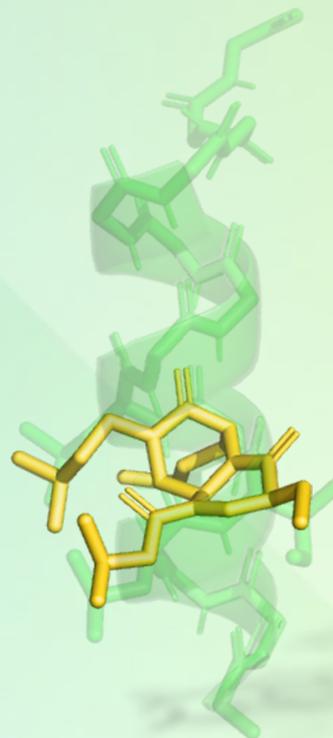
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



PRISM
BioLab

会社概要

会社名	株式会社PRISM BioLab
代表取締役	竹原 大
設立年月日	2006年11月※
本社・研究所	神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番1号 湘南ヘルスイノベーションパーク
事務所	東京都中央区日本橋本町三丁目8番3号 日本橋ライフサイエンスビルディング3 301
事業内容	創薬技術開発及び創薬
資本金	1,714,446千円（2024年9月末時点）
従業員数	36名（2024年9月末時点）

企業理念

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。

沿革

年月	概要
2006年11月	当社の前身であるPRISM BioLab(株)(旧 (株)PRISM Pharma)を設立
2007年4月	神奈川県横浜市緑区に事務所及び研究所を開設
2011年4月	エーザイ(株)とPRI-724のガン分野におけるライセンス契約締結
2012年4月	社名を(株)PRISM Pharmaに変更すると共に、自社開発事業を中心に展開するため当社、(株)PRISM BioLabを新設分割により設立
2013年7月	エーザイ(株)との共同研究で経口剤となるE7386を創出し、当社研究成果をエーザイ(株)に導出(その後、E7386に資源集中するために2015年にPRI-724は契約解消)
2017年3月	製薬会社の創薬ターゲットに対してヒット化合物(*)を創出する共同開発事業を本格的に開始
2018年5月	大原薬品工業(株)にPRI-724のガン以外の分野における導出契約締結
2018年10月	当社が(株)PRISM Pharmaを吸収合併
2020年5月	Boehringer Ingelheim International GmbH社との間で、複数の創薬ターゲットに関する研究及び導出契約を締結
2020年7月	本社を湘南ヘルスイノベーションパーク(神奈川県藤沢市)内へ移転
2020年11月	Merck KGaA社との間で、複数の創薬ターゲットに関する研究及びライセンス契約を締結
2021年6月	フランスの製薬大手LES LABORATOIRES SERVIER社との間で創薬に関する業務提携契約を締結
2021年11月	エーザイ(株)と共同で創製したCBP/ β -catenin阻害剤E7386について、臨床におけるPOC(Proof of Concept : 創薬概念の検証)を達成
2021年12月	製薬大手RocheグループのF. Hoffmann-La Roche Ltd.社及びGenentech, Inc.社との間で、研究及び導出契約を締結
2022年4月	大原薬品工業(株)に導出したPRI-724について、臨床におけるPOCを達成
2023年5月	大原薬品工業(株)と導出契約に基づく第II相臨床試験の開始によるマイルストーン達成
2023年11月	Eli Lilly and Company社との間で、複数の創薬ターゲットに関する共同研究及び導出契約を締結
2024年4月	小野薬品工業(株)との間でガン領域における創薬に関する導出契約を締結
2024年7月	株式会社東京証券取引所グロース市場に上場
2024年9月	東京都中央区に東京オフィス(東京都中央区)を開設

01 会社概要

02 2024年9月期の業績

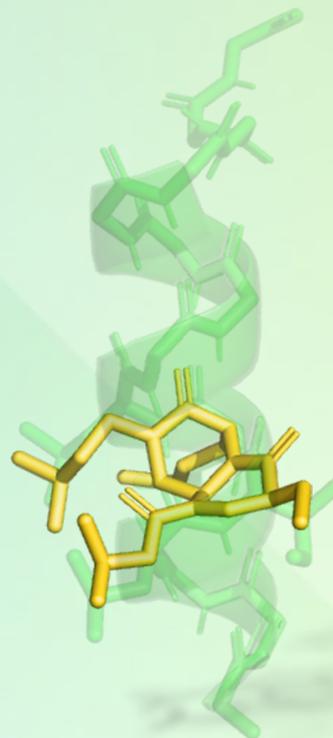
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



PRISM
BioLab

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。

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	新株発行、アップフロント、 共同研究費等
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	アップフロント、共同研究費 受領に伴う契約負債増加等
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>	新株発行等
負債純資産合計	1,211	4,528	+3,317	

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	営業キャッシュフローは プラス
税引前当期純損失	△ 525	△ 1,048	△ 522	
契約負債の増減額	8	886	+878	アップフロント、共同研究費 受領に伴う契約負債増加
減損損失	28	216	+188	
その他	△ 24	94	+118	研究開発設備投資の減損 処理
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	新株発行増資
現金及び現金同等物に係る換算差額	0	△ 17	△ 18	増資とほぼ同額の資金増
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	

01 会社概要

02 2024年9月期の業績

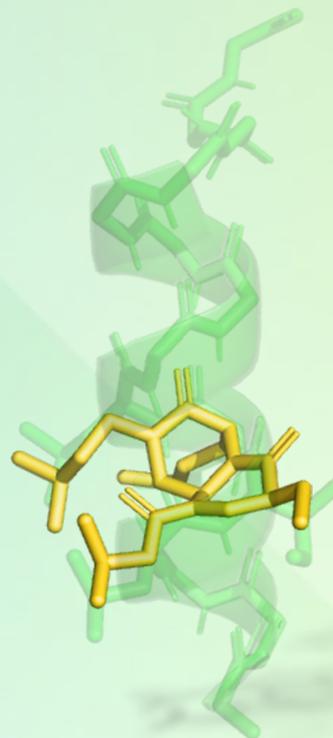
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



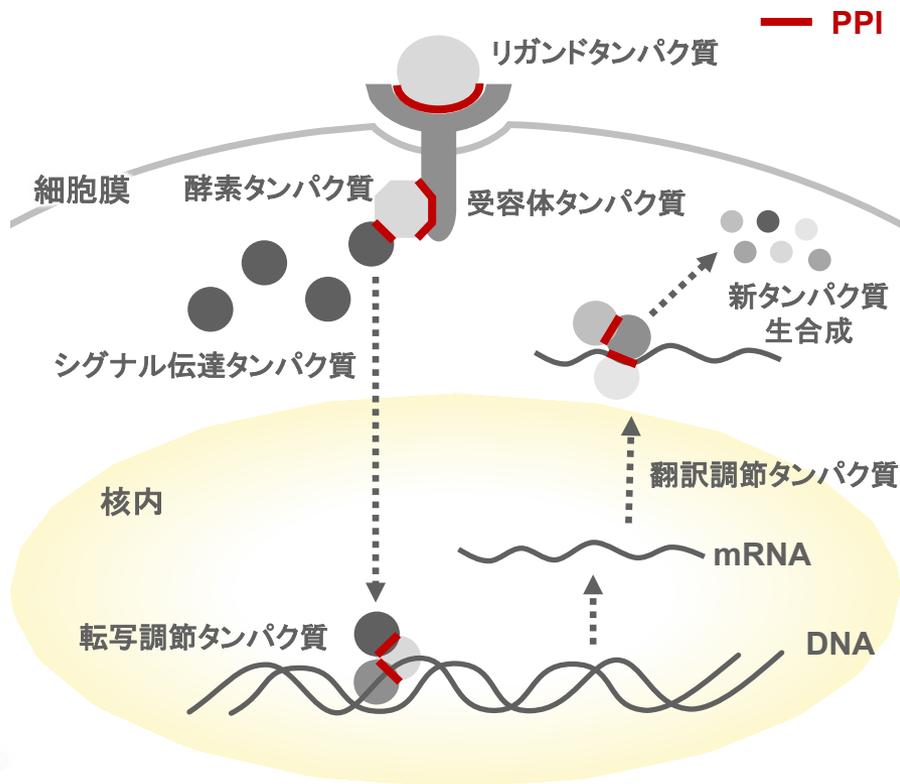
PepMetricsがあたらしい創薬領域を創る可能性



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 成長ホルモン 過剰	糖尿病 先端巨大症
受容体タンパク質	NTRK1 機能異常 LDL受容体 機能異常	疼痛 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 APC 機能異常	高コレステロール血症 大腸ガン
転写調節タンパク質	IRF5 増加 Myc 増加	全身性エリテマトーデス 神経芽腫
翻訳調節タンパク質	eIF4E 増加 FMRP 機能異常	難治性乳ガン 発達障害

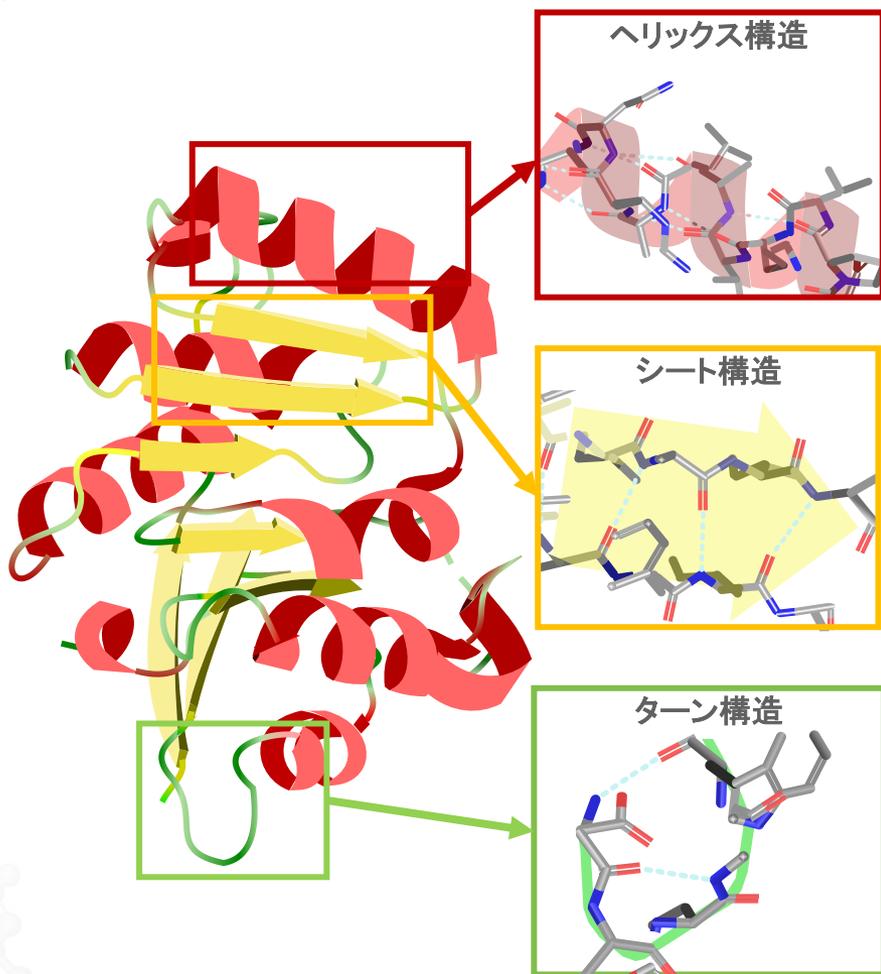
※: インスリン、成長ホルモン、NTRK1、LDL受容体、リパーゼ、APC、IRF5、Myc、eIF4E、FMRP: これらすべて体内にあるタンパク質の一種

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

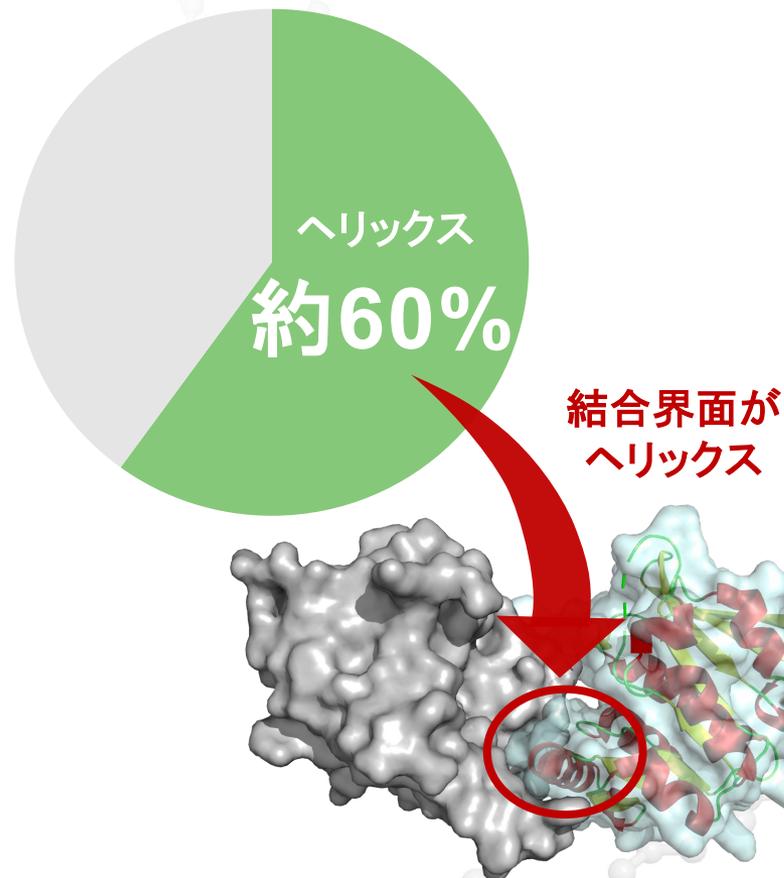
PPIにおいてヘリックス構造は重要な役割を担っている

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

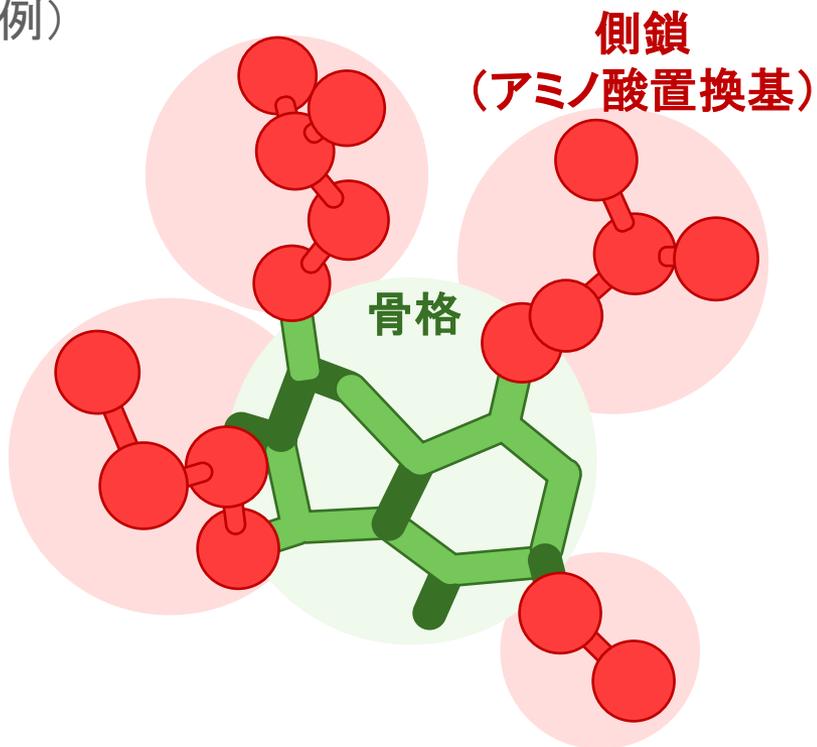


当社のプラットフォーム基盤技術「PepMetricsテクノロジー※」

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

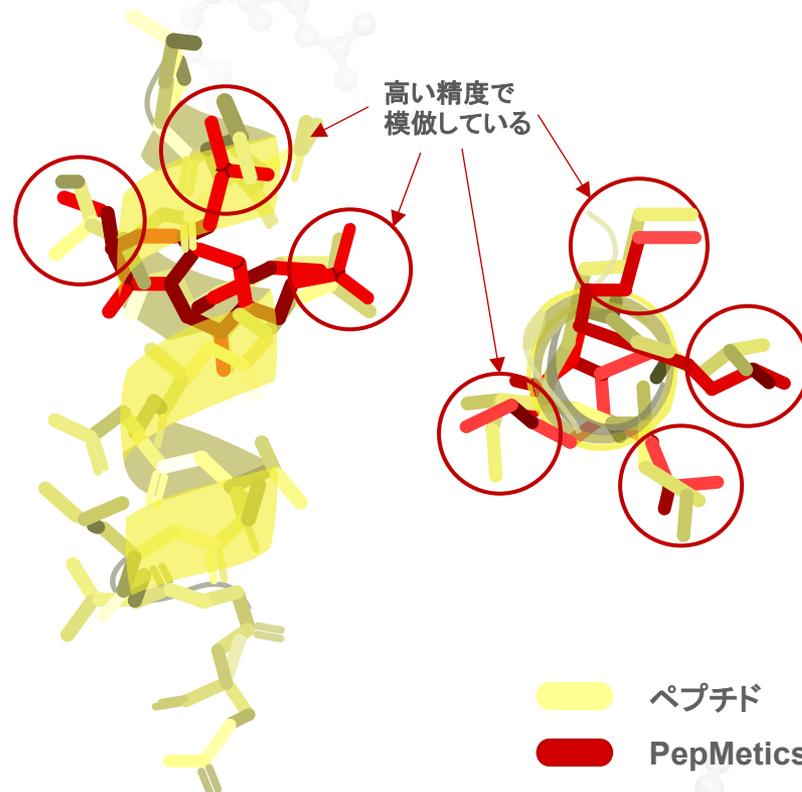
PepMetrics化合物の構造

(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

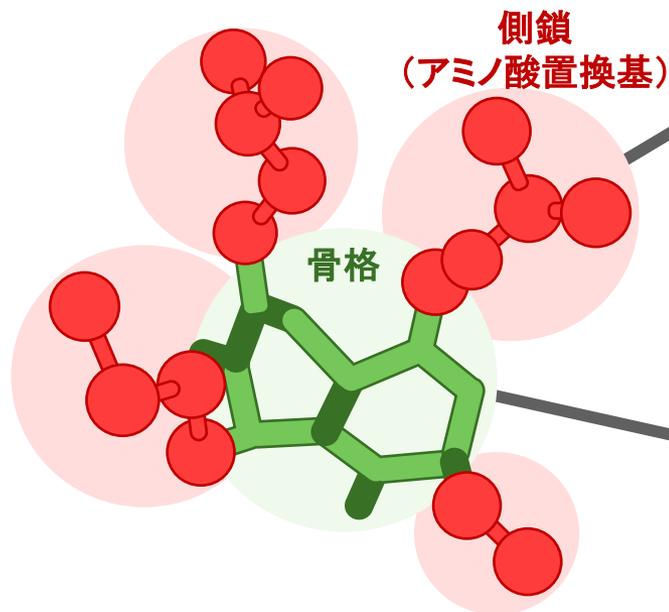


安定構造の骨格により
ヘリックス構造を高い精度で
模倣することが可能

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



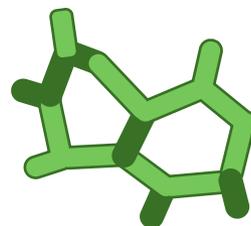
多様なアミノ酸側鎖



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



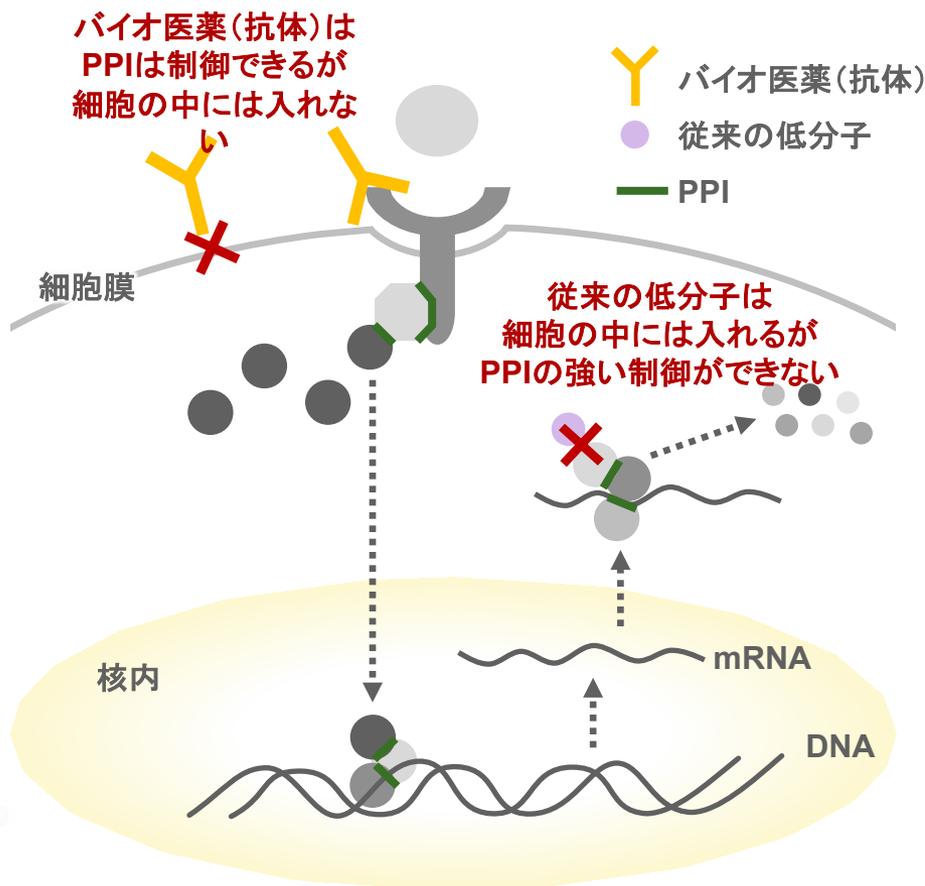
40種類※3

無数の組み合わせ

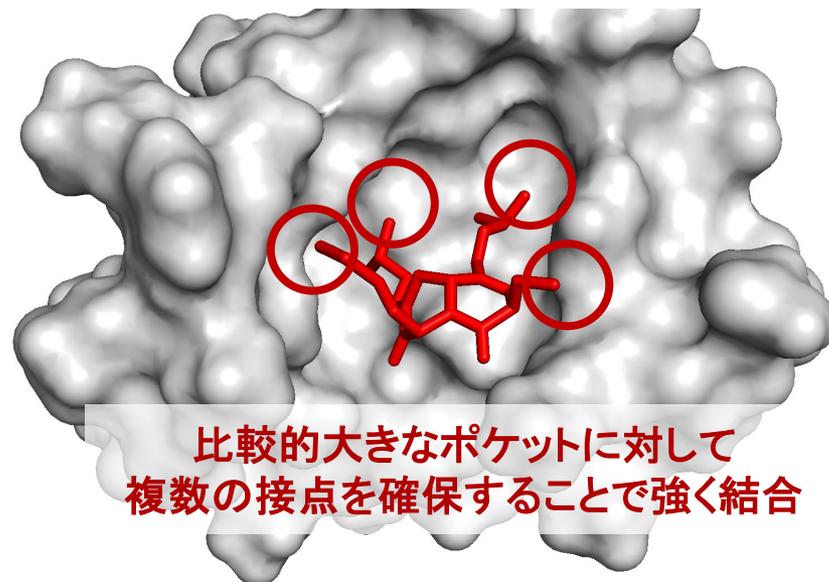
ターゲットタンパク質に対する柔軟な設計が可能

「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



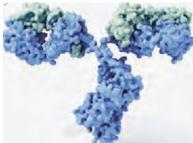
PepMetrics



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

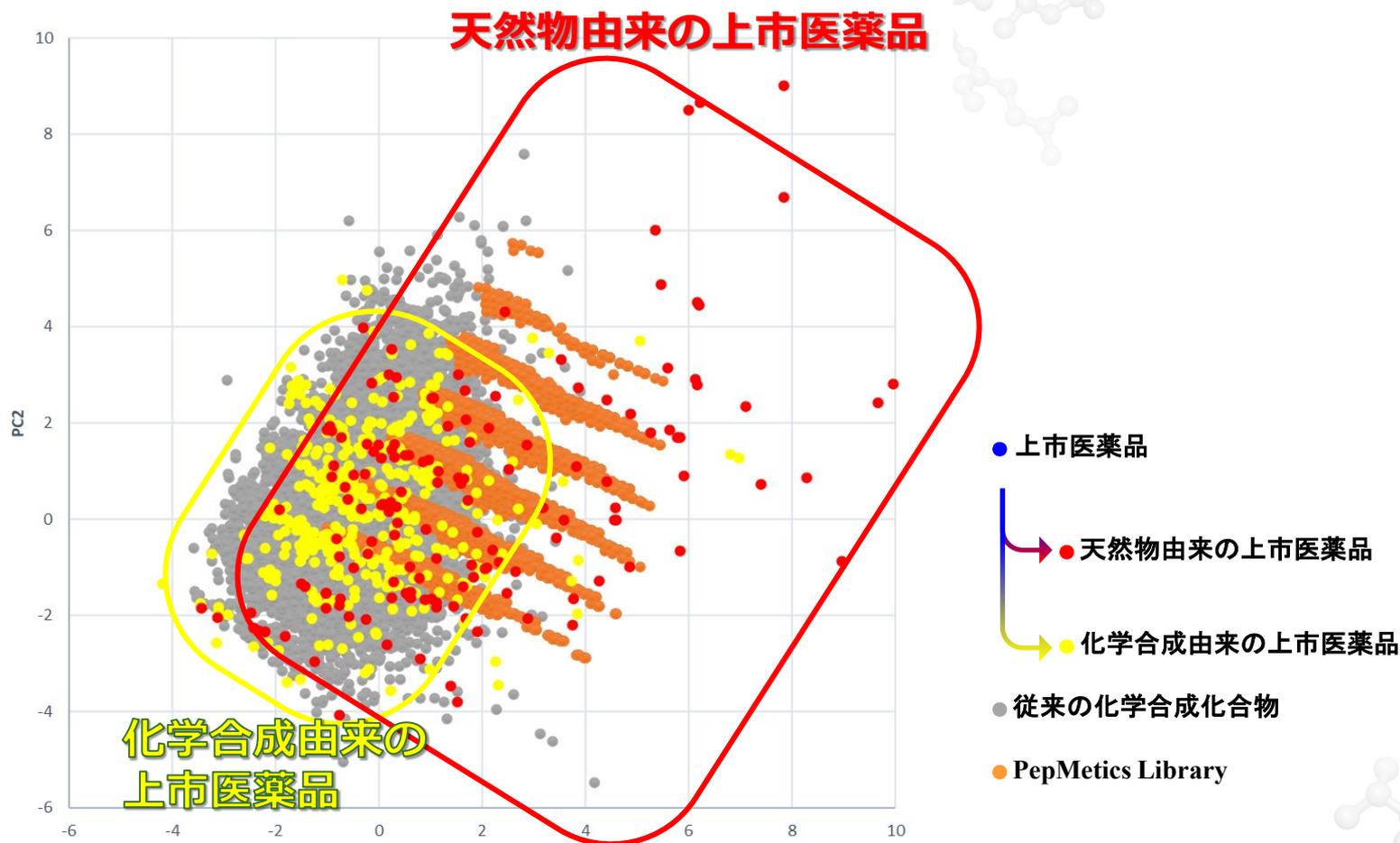
細胞内PPIに対する他モダリティとの比較優位性

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 会社概要

02 2024年9月期の業績

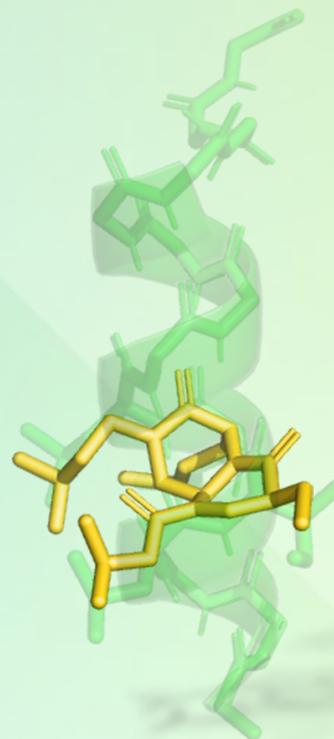
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報

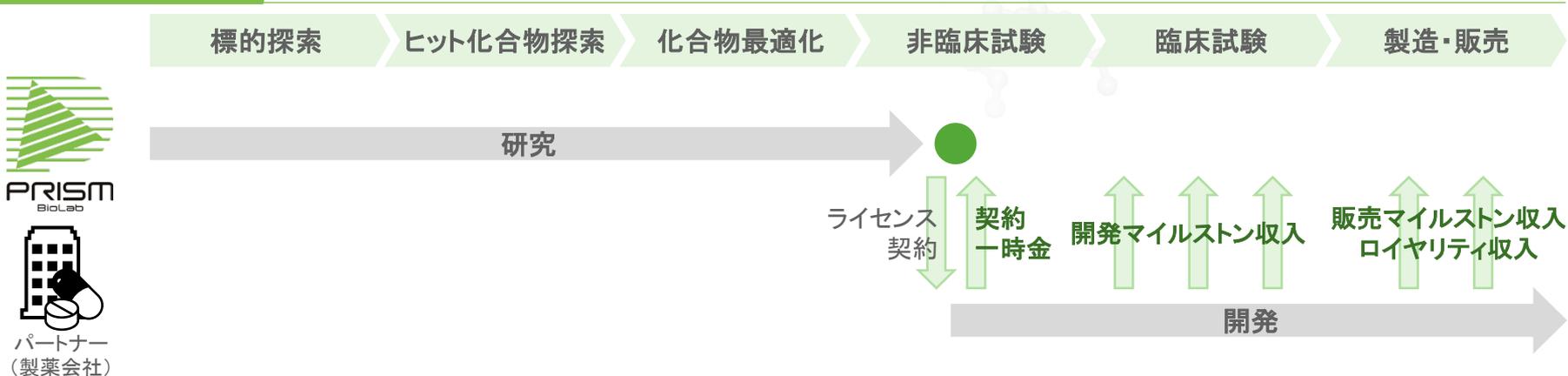


当社のビジネスモデル

自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

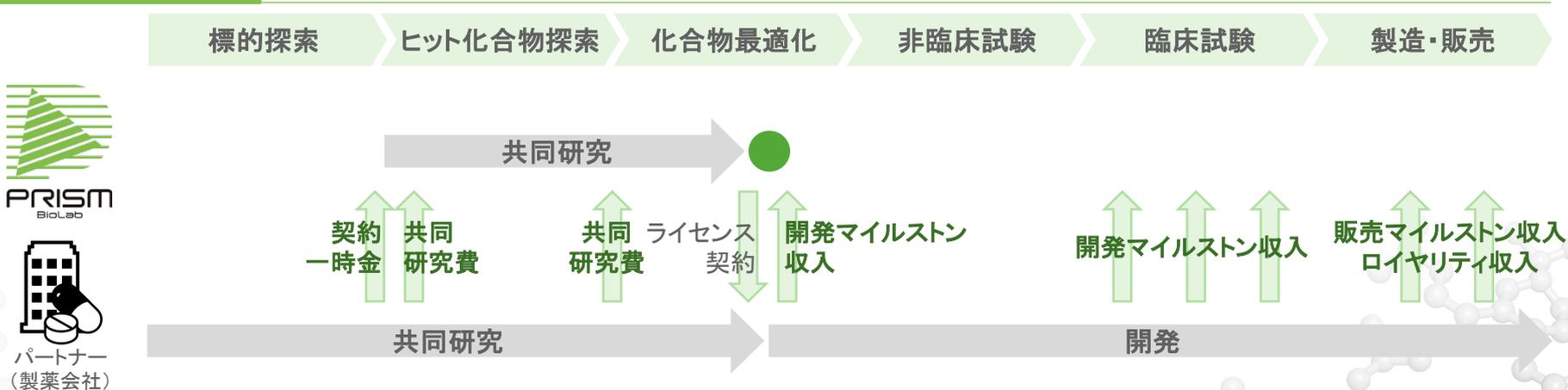
自社開発事業

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



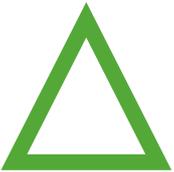
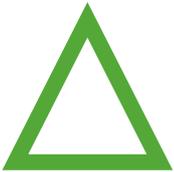
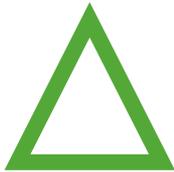
共同開発事業

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

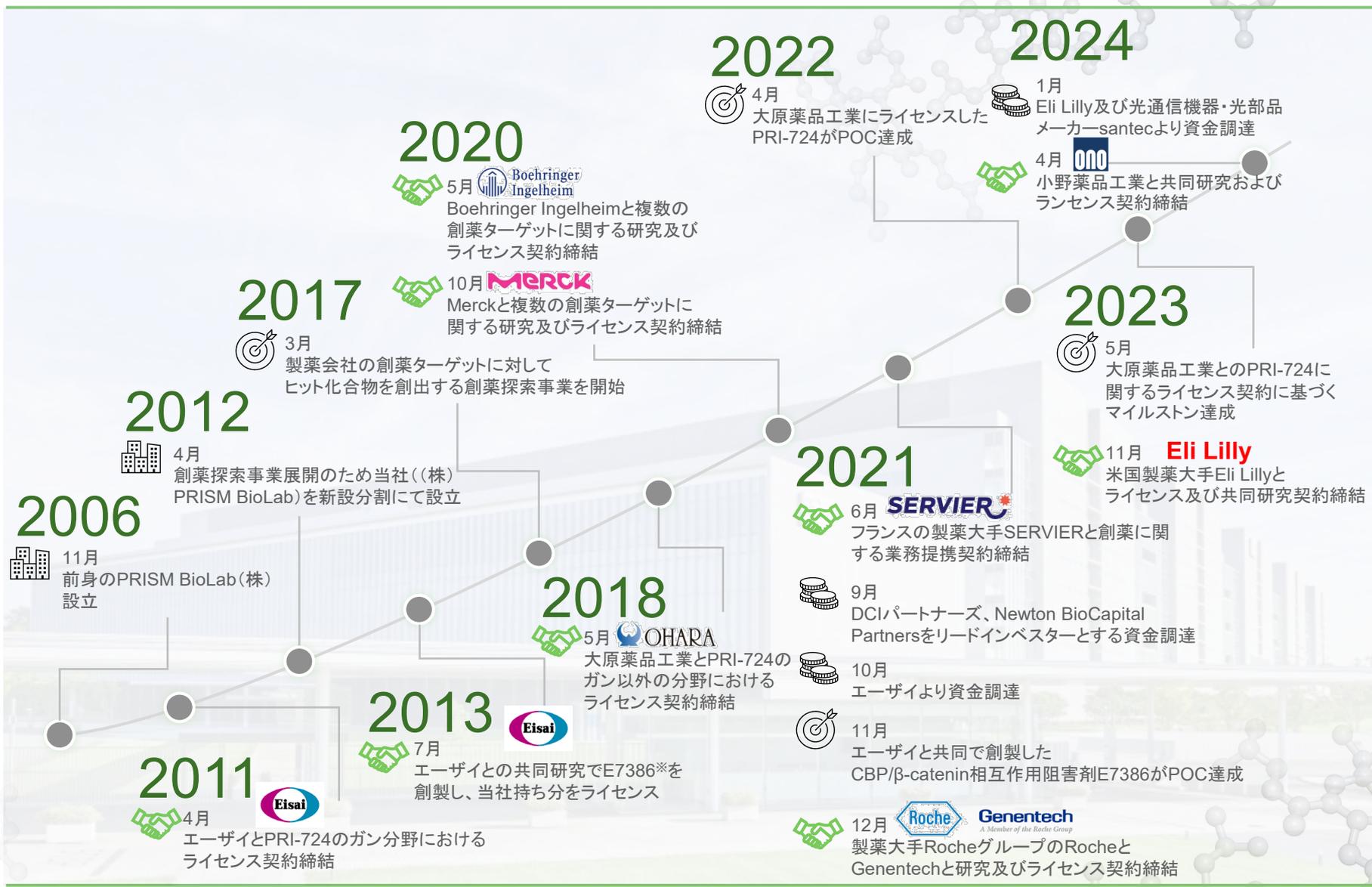


当社の各事業の特徴

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 会社概要

02 2024年9月期の業績

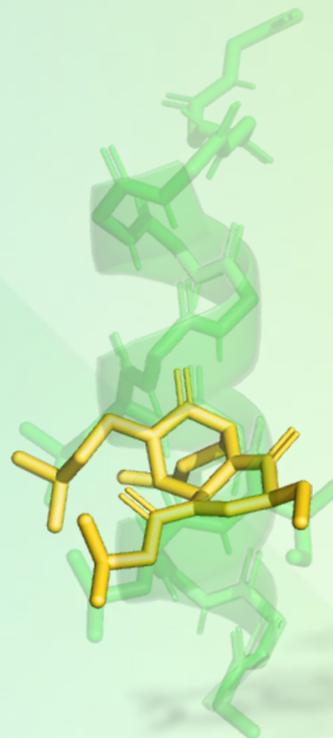
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



自社開発事業

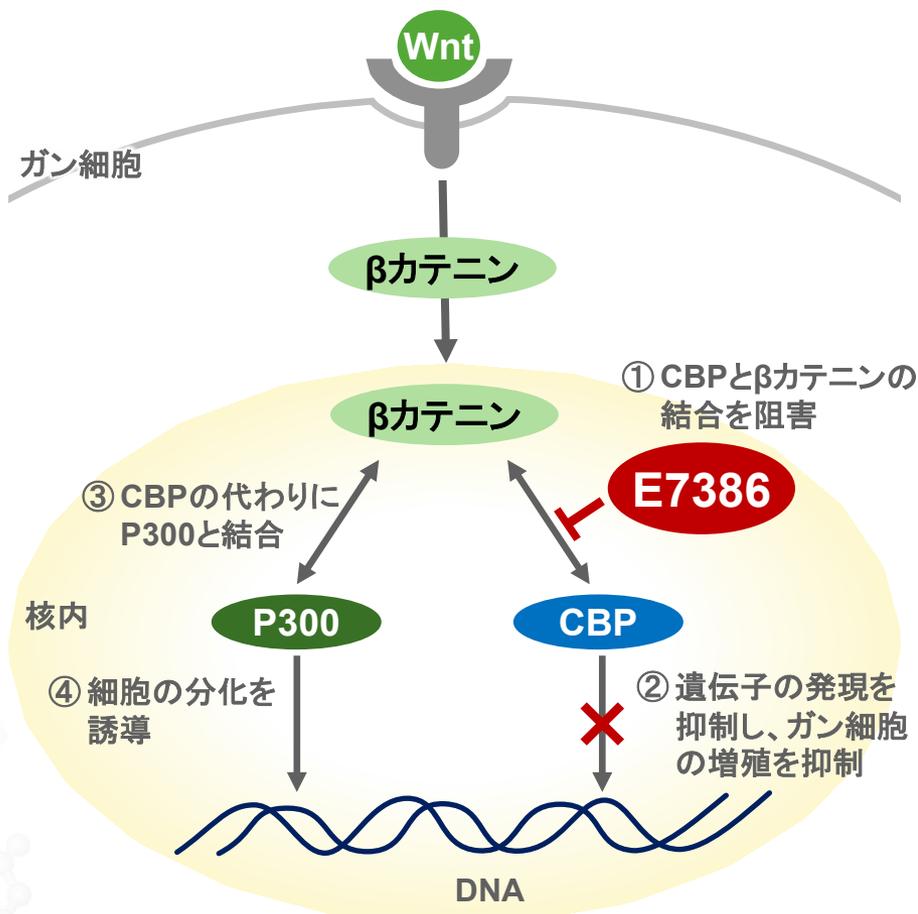
製薬企業2社に導出し、臨床第II相試験を進めている

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

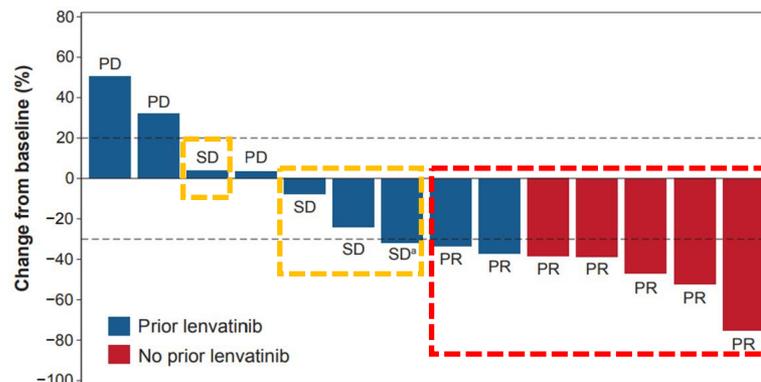


※1: E7386はエーザイと共同創製した化合物

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.

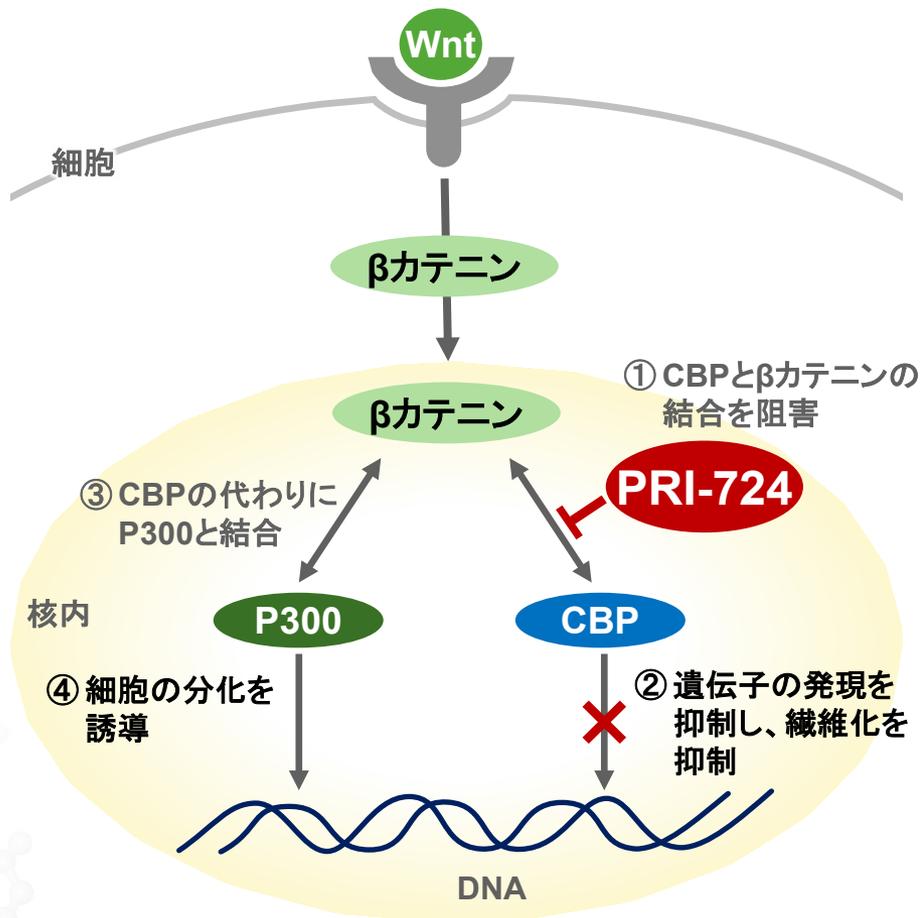
出所: European Society for Medical Oncology: (ESMO) 年次総会 (ESMO2024 Annual Meeting) ポスター発表 (2024年9月13~17日)

※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

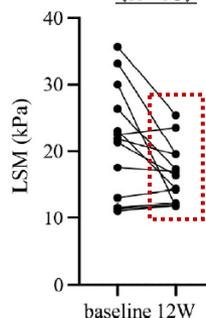


第I/IIa相試験の臨床試験データ

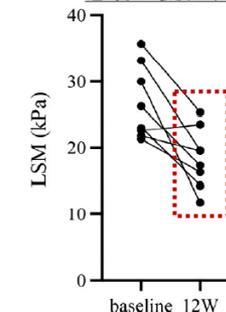
CBP/βカテニン阻害薬PRI-724は、C型またはB型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者を対象とした第I/IIa相試験において、肝硬度および肝機能を改善した(NCT03620474)。

✓ 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)

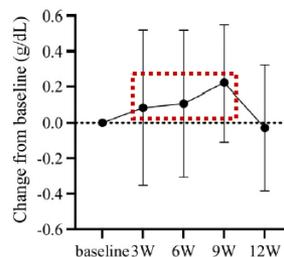


うち、LSM20kPa以上(重度)の患者の変化(n=8)

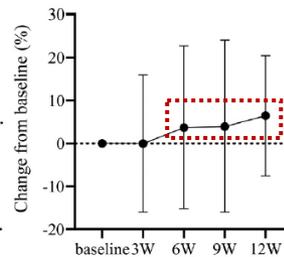


✓ PRI-724投与による肝機能: 血清アルブミン値、総ビリルビン値及びプロトロンビン時間において、ベースラインに対する改善が認められた。

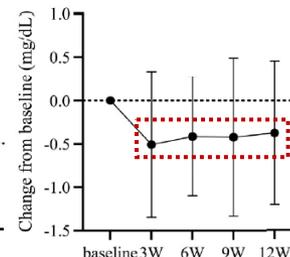
血清アルブミン値(n=14)



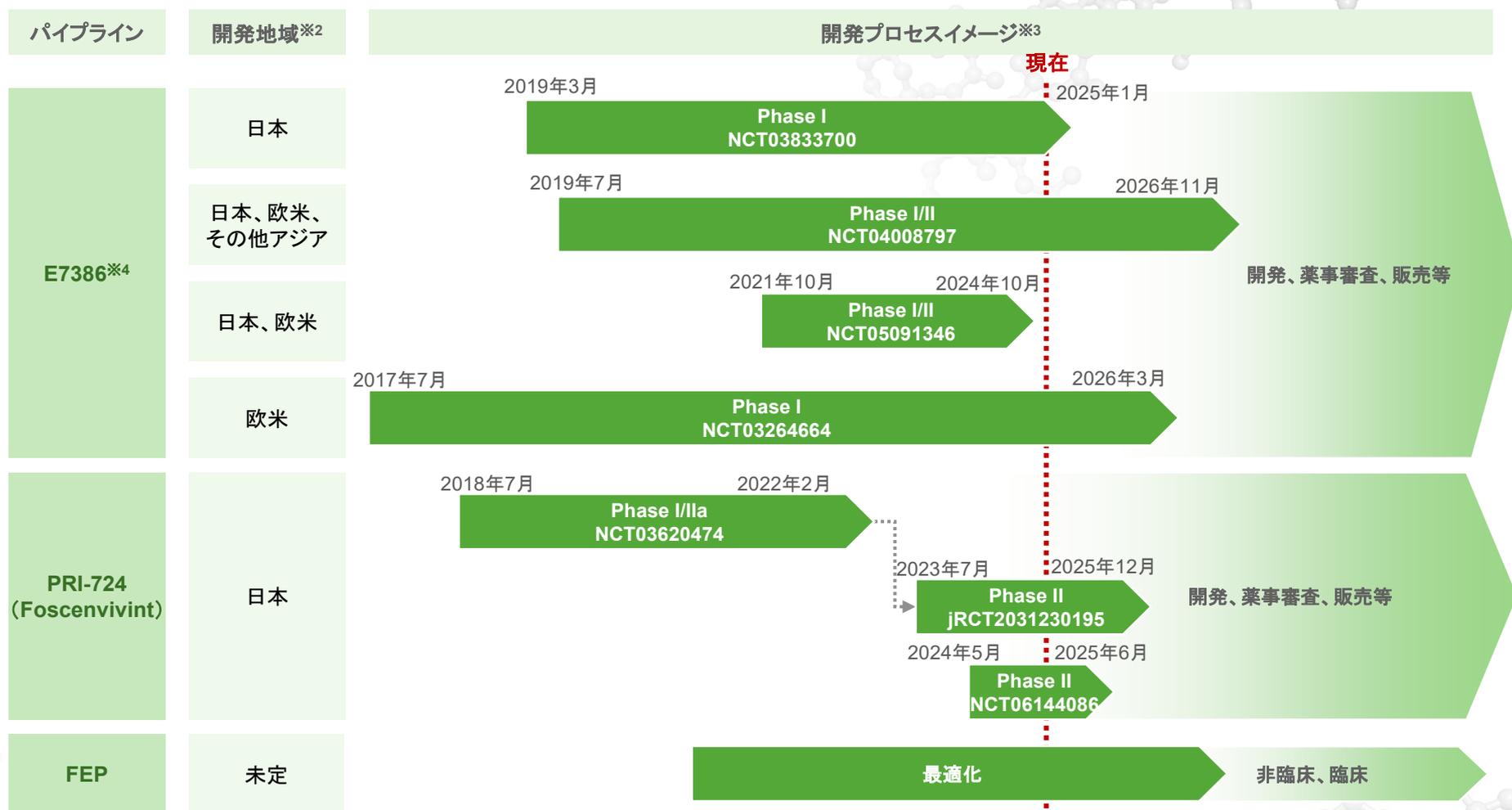
プロトロンビン時間(n=14)



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12月24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※)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 会社概要

02 2024年9月期の業績

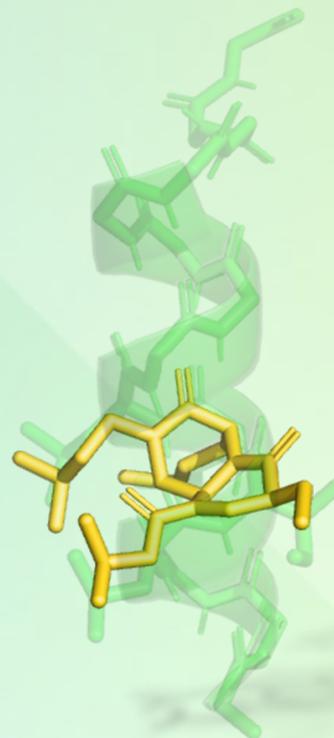
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

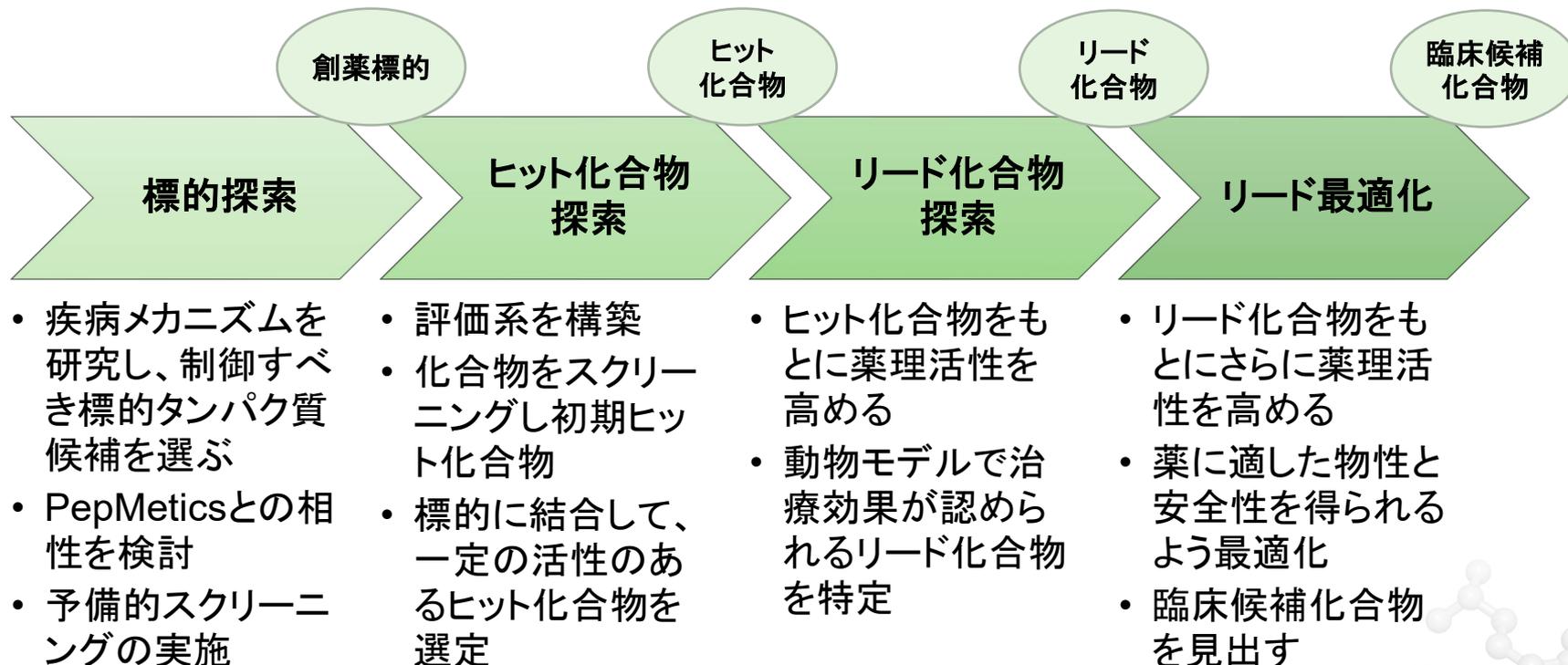
06 成長戦略

07 リスク情報



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



今後の成長に関するイメージ図

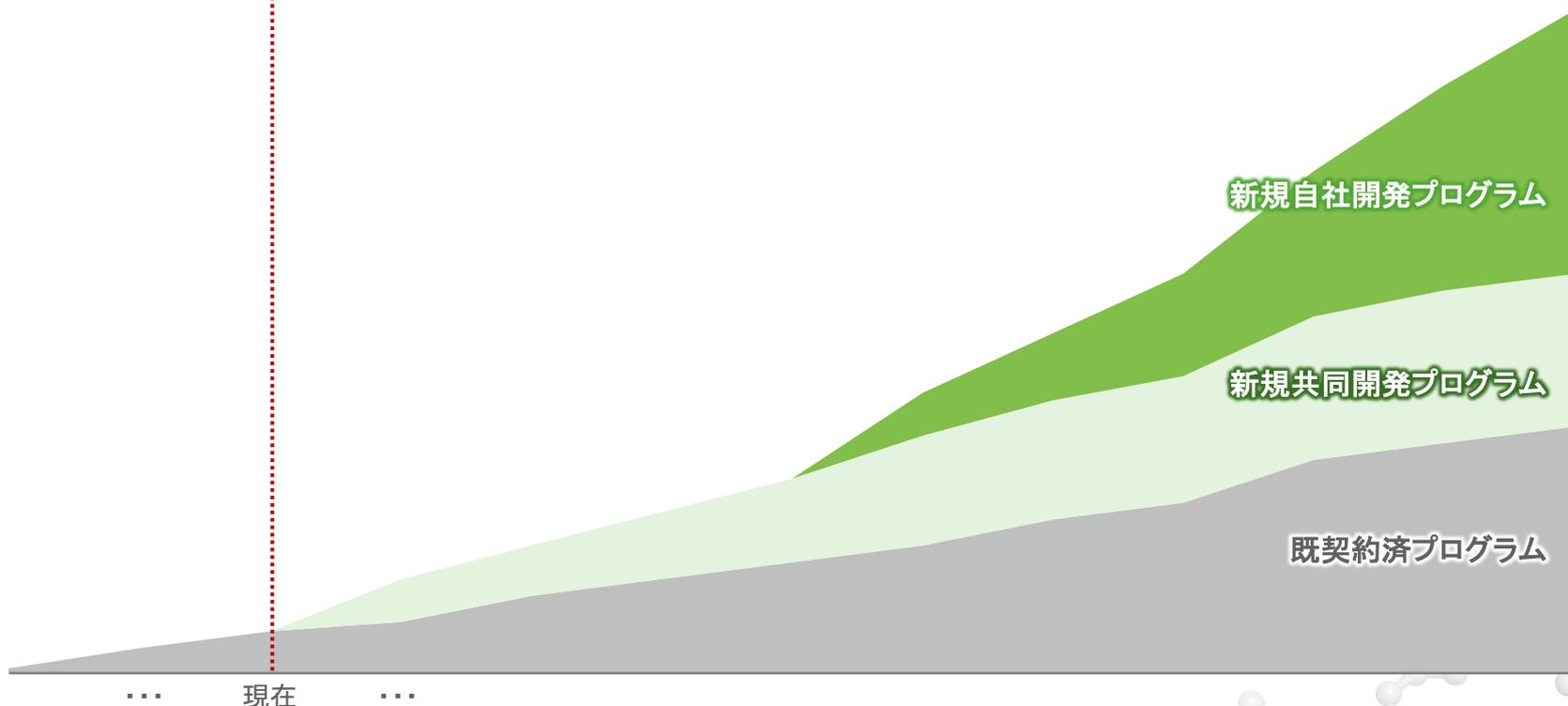
契約積み上げにより新規契約本数の増加、契約規模の拡大を目指す

プラットフォーム技術の実証に投資するステージ

- 自社開発プログラムへの投資によるヒトPOCの確立
- 多くの製薬企業に使用してもらうことでデータを蓄積

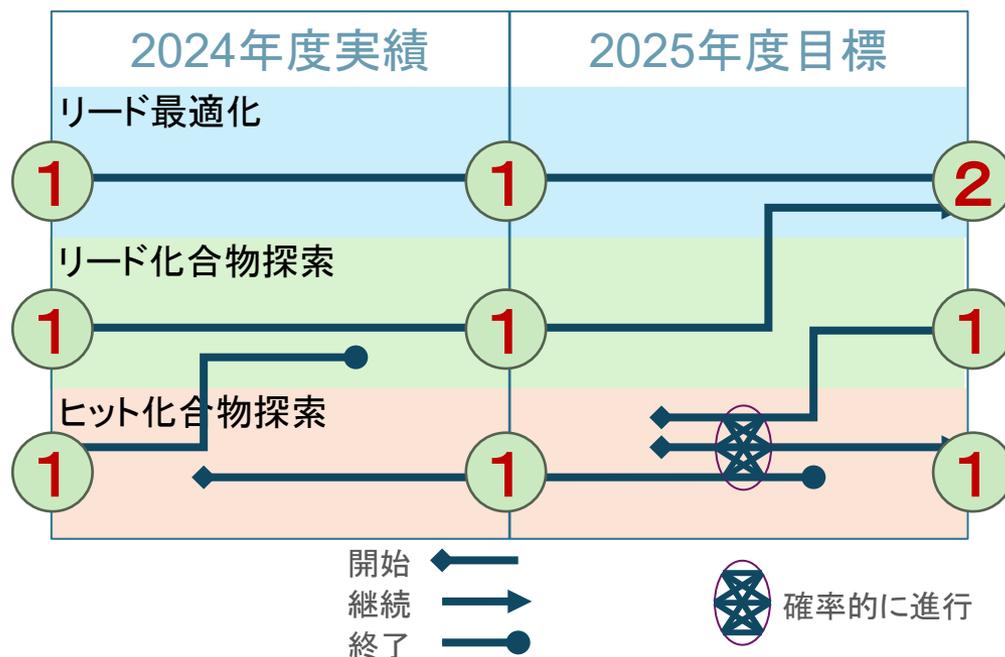
安定的な収益基盤を構築するステージ

- 向上した当社のプラットフォーム技術により、より好条件(単価の高い)の契約を積み上げることを目指す
- 経年毎に、過去契約からのマイルストンの増加を目指す
- 自社開発プログラムの導出やマイルストンの発生を目指す



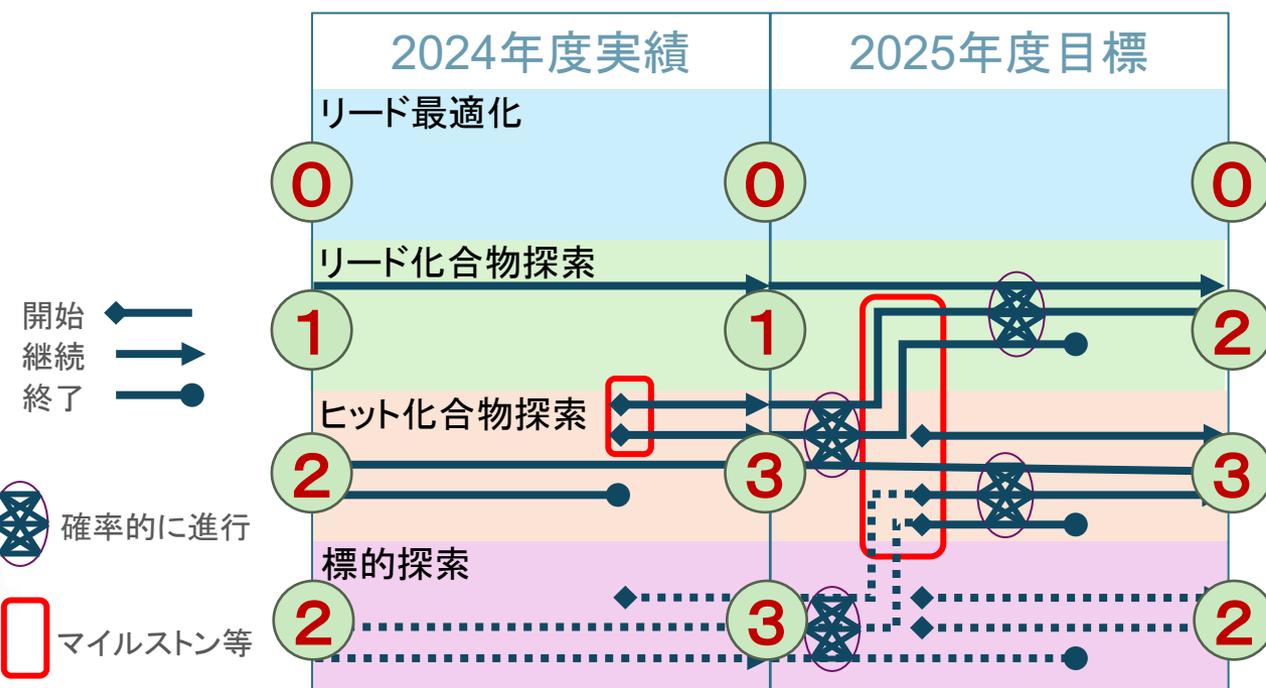
自社開発事業

- ◎ 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



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

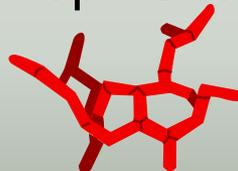
AI・情報科学

- ・ 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
- ・ 新規合成ルートの探索
- ・ 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

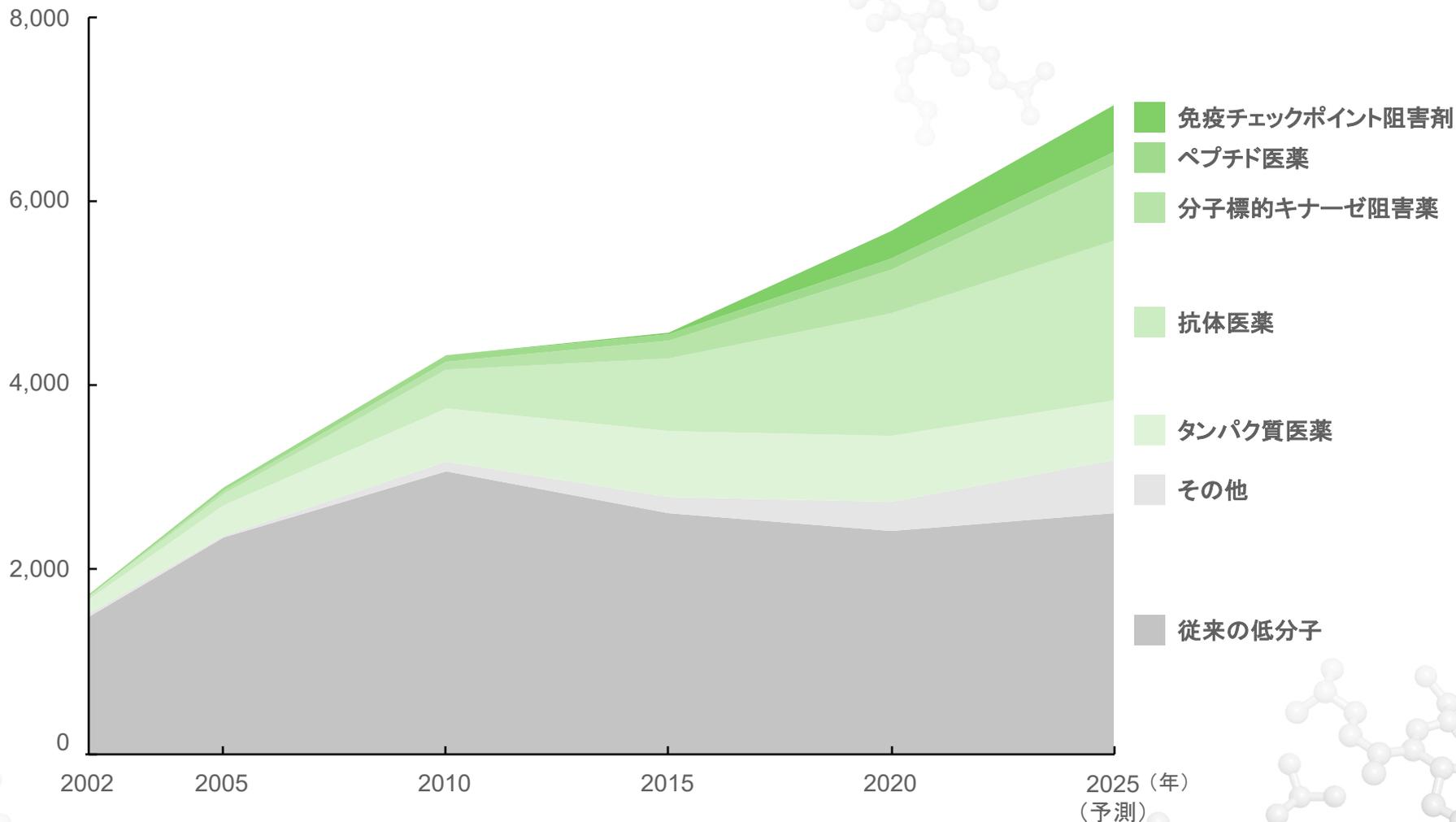
PRISM
BioLab

低分子による細胞内PPI※制御
(PPI: タンパク質間相互作用)

パラダイムシフトの経済規模予測

過去の創薬業界の成長はこれらのパラダイムシフトによりもたらされている

(年間売上高: 億ドル)



PPI標的が制御できれば、膨大な未開拓領域へのアプローチとなる

キナーゼ阻害剤より潜在的に大きな市場が見込まれる

	キナーゼ阻害剤	細胞内PPI阻害剤
体内の種類	> 500種類 (Including Pseudo)	タンパク質: 20,000種類 PPI: 650,000種類※2
対象医薬品数	72※1 (2022年11月時点)	未評価
阻害機序	Phosphorylation (リン酸化)	Transcription (転写)、 Translation (翻訳)、 Signal transduction (シグナル伝達)、 Phosphorylation (リン酸化) 等多数
適応症	ガン (Due to selectivity in kinases)	適応症に限定なし
最初の承認薬	グリベック (2001年承認)	ベネトクラクス (2016年承認)※4
市場規模	476億米ドル (2020年)※3	-

各疾患有症患者数

パイプライン	適応症	有症患者数(人)	標的依存的有症率	標的依存的有症患者数(人)	類似薬売上高※7 (百万米ドル)
E7386※1	肝ガン	232,447※2	22%※4	51,145	494 (Lenvima® in 2024)
	大腸ガン	2,021,322※2	53%※4	1,071,301	3,129 (Avastin in 2019)
PRI-724	肝硬変	108,000※3	28%※5	29,889	アンメットメディカル ニーズのため 類似薬無し
FEP	膀胱ガン	933,193※2	43%※4	401,273	2,227 (TICE BCG in 2018)
	トリプルネガティブ 乳ガン	300,188※2	42%※4※6	126,079	1,571 (Trodelvy in 2032)

各疾患の標的依存的有症患者数と標的依存的有症率を当社にて試算

※1: E7386はエーザイ社と共同創製した化合物

※2: Datamonitor Healthcareを参照。各適応症について、2022年、prevalence 5 year、US/5EU/Japanの数値を記載

※3: e-Stat 患者調査令和2年患者調査確定数全国編報告書を参照。「11消化器系の疾患(肝硬変(アルコール性のものを除く))」の数値を記載

※4: COSMIC(Catalogue Of Somatic Mutations In Cancer)を参照。肝ガンにおけるCTNNB1変異、大腸ガンにおけるAPC変異・CTNNB1変異、膀胱ガンにおけるFGFR3変異・PIK3CA変異、トリプルネガティブ乳ガンにおけるPIK3CA変異の数値を記載

※5: 響文社「我が国における非B非C肝硬変の実態調査2011」を参照。有症患者数に対して、B型・C型・NASHを発症しChild-Pugh class BもしくはChild-Pugh class Cに該当する患者数の割合を記載

※6: Anthony Flowers et al. *Eukaryotic initiation factor 4E overexpression in triple-negative breast cancer predicts a worse outcome* (DOI: 10.1016/j.surg.2009.05.010)を参照。※3の数値に、トリプルネガティブ乳ガン患者のうちeIF4Eの過剰発現度合いが「high」と判定された患者数の割合を合算

※7: Datamonitor Healthcareを参照。2017年から2032年における各年のUS/5EU/Japanでの最大売上高を記載

資金使途

以下の項目および使途にIPOにおいて調達した資金を充当し、ヒット化合物創出と、導出可能性の拡大を目指す

資金使途	充当額	支出時期(千円)		
		2024年9月期 (実績)	2025年9月期 (予定)	2026年9月期 (予定)
<ul style="list-style-type: none">・新たな自社開発プログラムの立ち上げ(年間2本)・創薬標的への初期化合物(Hit化合物)を見つけるための創薬基盤の多様化・PepMetrics化合物の集積データを活用したAIによる活性予測機能の開発	1,482,695	154,105	708,178	620,412
生物評価系設備、化学設備の購入により、作業期間の短縮、精度向上を実現	308,225	216,784	61,650	29,791

01 会社概要

02 2024年9月期の業績

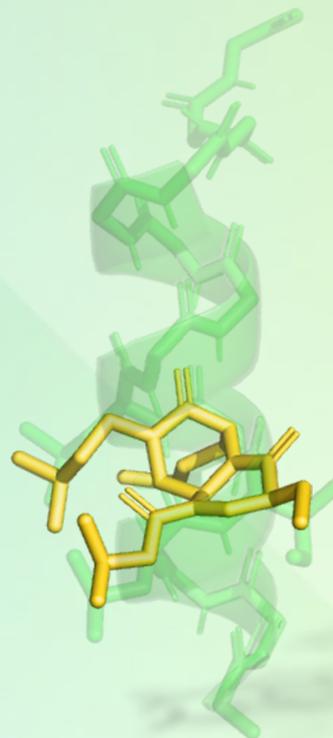
03 PepMetrics技術

04 ビジネスモデル

05 進捗するパイプライン

06 成長戦略

07 リスク情報



PRISM
BioLab

リスク情報

項目	主要リスク	リスクの概要	当社の対応方針
事業環境に由来するリスク	<p>新薬開発の不確実性について</p> <p>発生可能性: 中 影響度: 大</p>	<p>医薬品の研究開発には多くの不確実性が伴い、当社の現在及び将来の開発品についても同様の不確実性のリスクが内在しております。一般的に医薬品開発は研究開始から承認まで長期間を要し、多額の研究開発投資が必要になりますが、他産業と比較して製品化の成功確率が著しく低い状況にあります。医薬品候補化合物は、有効性や安全性の観点から開発の延長や中止をする可能性があり、開発資金の追加調達や、これまでの開発投資資金を回収できなくなる可能性もあります。</p>	<p>当該リスクに対しては医薬品の開発や事業化について経験を有する人材を社内外に確保し研究開発を推進する体制の構築に努めております。また、新薬の研究及び臨床開発の分野で豊富な経験を有するメンバーで構成したScientific Advisory Boardを組織し、助言を受けております。また、臨床試験の計画・実施に当たっては規制当局との事前相談等を通じて適切な助言を得て開発を推進してまいります。</p>
事業内容に由来するリスク	<p>他社とのアライアンスにおけるリスク</p> <p>発生可能性: 中 影響度: 中</p>	<p>当社は、新薬候補化合物を大手製薬会社等に導出し、導出先が販売促進活動し、マイルストーン及びロイヤリティを得るのが基本的ビジネスモデルです。既に導出を行った新薬候補化合物の臨床試験を実施中ですが、これらの試験結果が望ましくない場合や提携企業との良好な協力関係が保たれなくなった場合、当初予定していた売上高が減少し将来に期待していた収益が得られない可能性があります。また、製品買収や製品・開発品の導入等に伴う不確実性により、将来に期待していた収益が得られない可能性があります。</p>	<p>当該リスクに対しては、新規提携先の拡充に向け複数の候補先と定期的なコミュニケーションの実施に努めております。</p>

リスク情報

項目	主要リスク	リスクの概要	当社の対応方針
財務リスク	資金繰りについて 発生可能性: 中 影響度: 中	<p>当社は、研究開発型企業として多額の研究開発資金を必要とし、また研究開発費用の負担により長期にわたって先行投資の期間が続きます。この先行投資期間においては、継続的に営業損失を計上し、営業活動によるキャッシュ・フローはマイナスとなる傾向があります。</p> <p>このため、安定的な収益源を確保するまでの期間においては、製品候補の開発の進捗等に応じて、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、必要なタイミング又は適切な条件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、又は株主の保有する権利に影響を及ぼす可能性があります。</p>	<p>引き続き新規案件の獲得を通じて安定的な収入源の確保を進めつつ、IR活動の充実を通じて資金調達機会の増加に努めてまいります。</p>
事業内容に由来するリスク	小規模組織及び少数の事業推進者への依存 発生可能性: 小 影響度: 中	<p>当社は、2024年9月末現在、取締役4名(社外取締役1名含む)、監査役4名(非常勤監査役3名含む)及び従業員36名の小規模組織であり、現在の内部管理体制は組織規模に応じたものとなっております。今後、業務拡大に応じて内部管理体制の拡充を図る方針です。</p> <p>また、当社の代表取締役竹原大、取締役研究開発部長朴熙万をはじめとする現在の経営陣、研究開発活動を推進する各部門責任者及び少数の開発担当者はそれぞれが高度かつ専門的な業務に従事しており、当社の事業活動はかかる少数の主要な人材に強く依存するところがあります。その為、常に優秀な人材の確保と育成に努めておりますが、人材確保及び育成が順調に進まない場合、並びに人材の流出が生じた場合には、当社の事業活動に支障が生じ、当社の業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。</p>	<p>当社は、当社の理念の浸透を図ると共に、専門分野毎の縦割り型ではなく、経営陣並びに従業員が自由闊達に議論を交わせるような組織づくりを通じ、やりがいを感じることができる風土を醸成すると共に、新規採用も含め社内体制の強化を進めてまいります。</p>

※上記以外のリスク事項及びより詳細なリスク情報については、有価証券届出書の「事業等のリスク」をご参照下さい。