



2025年6月16日

各 位

会 社 名 株式会社 Veritas In Silico
代表者名 代表取締役社長 中村 慎吾
(コード番号：130A 東証グロース市場)
問合せ先 執行役員 経営企画部長
郷田 恒雄
Email: ir@veritasinsilico.com

mRNA 標的核酸医薬自社パイプラインの 対象疾患決定のお知らせ

当社では、自社で mRNA を標的とする新たな医薬品の創出（パイプライン創出）に向けた取り組みを進めております。

このたび、その1件目のパイプラインとなる、核酸医薬による疾患治療のプロジェクトを開始いたしましたので、以下お知らせします。

- 遺 伝 子 名：現時点では非開示（特許出願後に開示します）
- 対 象 疾 患：心臓血管手術後に惹起される虚血性の急性腎不全
- 新 規 性：ファーストインクラス（既存薬無し）
- モダリティ：核酸医薬品
- 国内対象者：心臓血管手術患者のうち65歳以上
- 国内売上予測：約150億円/年（*）
- 想定開発期間：8～10年（開発スケジュールは今後詳細決定予定です）
- 開 発 戦 略：心臓血管手術を行う患者さまのうち、急性腎不全の発症リスクが高いとされる65歳以上の方々を対象とすることにより、早期の承認取得を目指します。承認取得後、適応追加を模索するとともに、グローバル展開を進めます。将来的には虚血性の他臓器不全へのさらなる適応追加も視野に入れて対応します。

当社は、mRNA 標的創薬を可能とするプラットフォーム **ibVIS®**を利用して、医薬品市場において最も大きなセグメントである低分子医薬の創出をパートナー企業と取り組むと同時に、最も成長性が高いセグメントと期待される核酸医薬にも自社創薬による研究開発に取り組めます。これは mRNA 標的的低分子医薬を探求しつつ、アンメット・メディカル・ニーズが存在する希少疾患には、適切なモダリティである核酸医薬で応えていこう、との当社の成長戦略に基づくものです。また、当社の持つ技術が、低分子創薬、核酸医薬創薬のどちらにも適用可能という長所を活かし、他社との差別化を一層図っていこう、との事業戦略でもあります。

対象疾患とした虚血性の急性腎不全は、心臓血管手術の際に血流量が少なくなることにより臓器の機能が低下する疾患のうち、特に腎臓がダメージを受けるものです。心臓血管手術は日本国内で年間約 5 万例が実施されており、そのうち腎臓がダメージを受ける疾患はおよそ 15~30%の確率で発生するとされ、新しい治療法により発症を防げるようになれば大変意義深いものと考えております。この疾患は発症時期が明確に判明していることから臨床試験が組み立てやすく、また発症確率も比較的高く臨床試験で有意差も得られやすいと考えられることから、臨床試験を通じて治療の有効性が確認できるものと考えております。現時点での売上予測の想定に加えて、適応拡大や海外展開により、さらなる収益確保の可能性についても追求していく方針です。

核酸医薬は、製造コストが相対的に高くなることが指摘されております。この点について当社は、患者さまへの局所投与により使用量を減らすこと、また投与を手術前の 1 回のみとすること等により、コストパフォーマンスの高い用法及び用量の確立を目指します。同時に、この投与方法により副作用をはじめ、毒性の低減も期待できるものと考えております。当社が今後行う創薬研究においては、初期段階より核酸医薬の製造面などの特性を考慮した研究を進める方針です。

当社はこれまでに培った知見とノウハウを結集して、プラットフォーム事業である低分子創薬の共同創薬研究と並行して、今後は、核酸医薬をはじめとした自社のパイプライン事業も積極的に推進してまいります。

● (医学専門家のコメント)

東京慈恵会医科大学 総合医科学研究センター長 岡野ジェイムス洋尚 教授

心臓血管手術後に惹起される急性腎不全に ASO(**)を投与する方法は、投与回数を抑えながら大きな効果が得られる可能性のある優れたアイデアだと思います。

この創薬研究を通じて有効な薬剤が開発されれば、心臓血管手術時に広く採用される治療法となる可能性もあり、このプロジェクトの今後の進捗に期待しております。

● 当社 CSO 森下えら コメント

当社の創薬プラットフォーム **ibVIS®**の技術を用いて自社創薬に取り組めることを心より喜ばしく思います。これまでプラットフォーム事業で培ってきた経験は **ASO** の創薬にも存分に発揮でき、また **ASO** の開発は、低分子医薬品の開発よりも研究開発期間を短縮できる可能性があることから、より早く患者さまに新たな治療の選択肢をお届けできることを期待しております。この研究を皮切りに自社創薬研究にも注力し「希望に満ちたあたたかい社会」の実現に貢献したいと考えております。

● 今後の業績に与える影響

この研究プロジェクトは、当社の成長戦略にて **KPI** に設定している「自社パイプライン創出」の1本目（2025年度分）にあたるものです。

この研究プロジェクトで創出される **ASO** が、新薬としての承認を得て製造販売を開始した場合の国内売上高（ピーク売上）は、年間約 **150 億円(*)**と予想しております。

また今後の開発期間中（8～10年を想定）、創薬研究の進捗に応じて研究開発費の支出を予定しております。このうち **2025 年度（2025 年 12 月期）** 分の支出については、**2025 年 2 月 13 日付**でお知らせした **2025 年 12 月期**の業績予想に織り込まれており、その業績予想に変更は生じない見込です。

なお今後、開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

注(*)：国内売上高の予想について

本資料に記載した国内売上高の予想値は、年間約 **5 万件**の心臓血管手術が今後も継続的に実施されること、**65 歳以上**の患者さまの割合 **35%**であること（**2040 年**に予想される **65 歳以上**の人口割合を適用）、ファーストインクラスかつ唯一の薬剤として **85%**の治療に採用されること（日本国内で **COVID-19** ワクチンを **1 回以上**接種した人の割合を適用）、想定薬価 **100 万円**の **1 回投与**として利用されることを前提として算出しております。また製造販売開始後のピーク売上は、今後の開発期間 **8～10 年**を経て、製造販売開始より **3 年後**に到達すると考えております。

この予想売上高は、当社が自社で研究・開発・製造販売まで実施した場合には全額が当社の収入となります。また一連のプロセスの途中で他社にライセンスアウト（導出）を行った場合には、当社は導出時点で契約一時金等を得るとともに、新薬としての承認を得る前の段階より開発マイルストーン収入、さらに製造販売開始後にライセンスアウト契約の条件に定めるロイヤルティ収入を得る想定です。当社が製造販売までの一連のプロセスを一貫して自社で実施するのか、あるいは一連のプロセスの途中で他社にライセンスアウトするのかについては今後方針決定する予定です。

注(**) **ASO**：Antisense Oligonucleotide の略 / アンチセンスオリゴヌクレオチド

核酸医薬の一種で、標的とする **mRNA** と結合して、タンパク質の生成を阻害したり、**mRNA** の分解を促進する働きを持つ物質です。

【お問合せ先】

● Veritas In Silico ウェブサイト お問い合わせフォーム：<https://www.veritasinsilico.com/contact/>