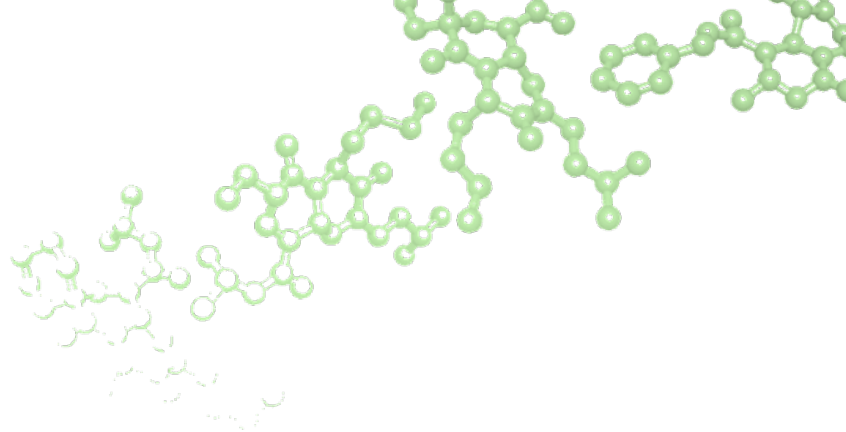




PRISM
BioLab



事業計画及び成長可能性に関する事項

Leading Drug Discovery Technology Platform for PPI Modulation

July 2, 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、本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。次回は2024年11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、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。実際の業績は予想とは大幅に異なる可能性があります。

PRISM BioLabはPepMetrics®技術によって
「創薬不可能」だった標的を
「創薬可能」にし、治療法のなかった病気を
治療することを目指しています。

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

Appendix



目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

Appendix

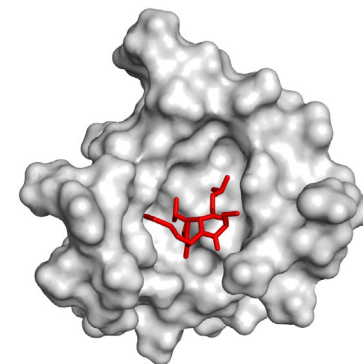


Executive Summary

あたらしい創薬



- 独自の **PepMetricsプラットフォーム技術** を活用して、これまで創薬が困難とされていた標的に対して **あたらしい創薬分野を創造** する。



確かな技術と実績



- PepMetrics技術より生まれ、製薬会社に導出された臨床プログラム2本では **ヒトPOC (Proof of Concept: 創薬概念の検証) を確立** 済。
- 複数の新規創薬標的に対して自社開発プログラムを進行中。

ヒトPOC
2本取得

グローバル大手との提携



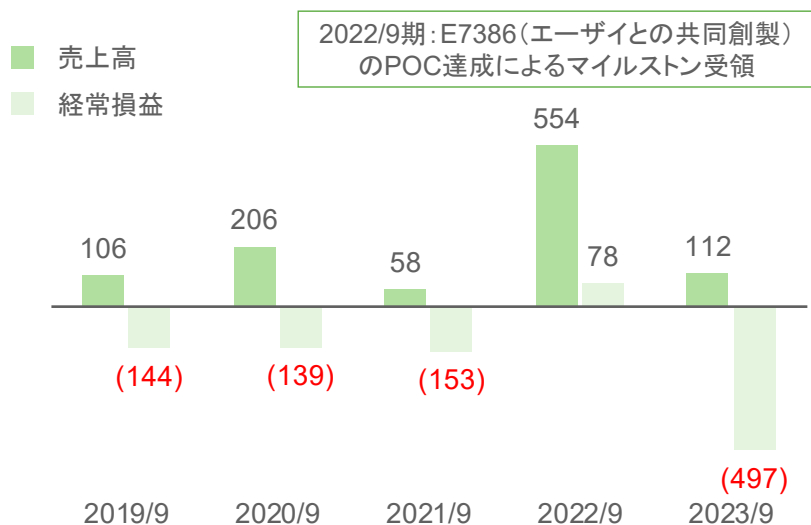
- PepMetrics技術はグローバル企業にも認められ、**国内外7社との共同研究契約** を締結。
- 自社開発事業に比べ、共同開発事業は早期の収益化が可能。
- 継続的に契約社数を拡大中。



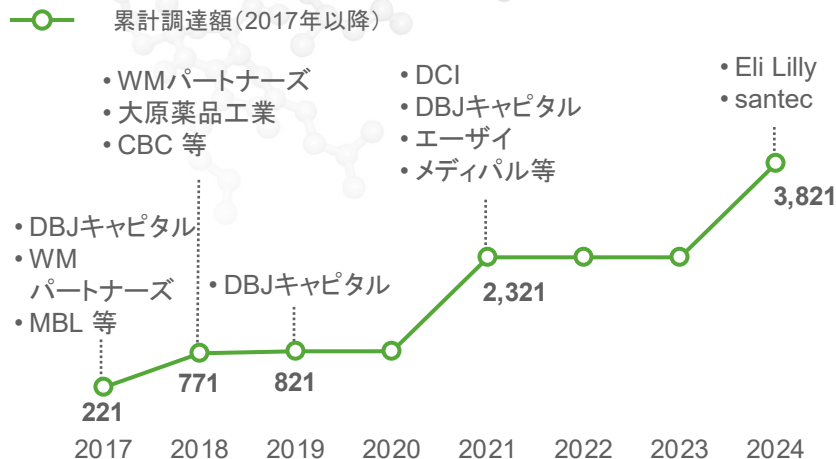
会社概要

会社名	株式会社PRISM BioLab
代表者	竹原 大
設立年月日	2006年11月※1
本社	神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番1号
事業内容	創薬技術開発及び創薬
資本金	1,590,246千円(2024年7月時点)
従業員数	26名(2024年6月末時点)

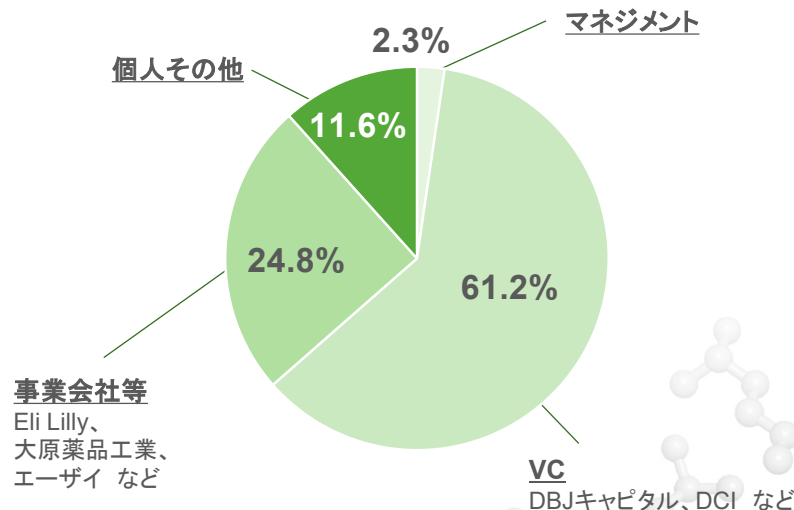
売上高と経常損益 (百万円)



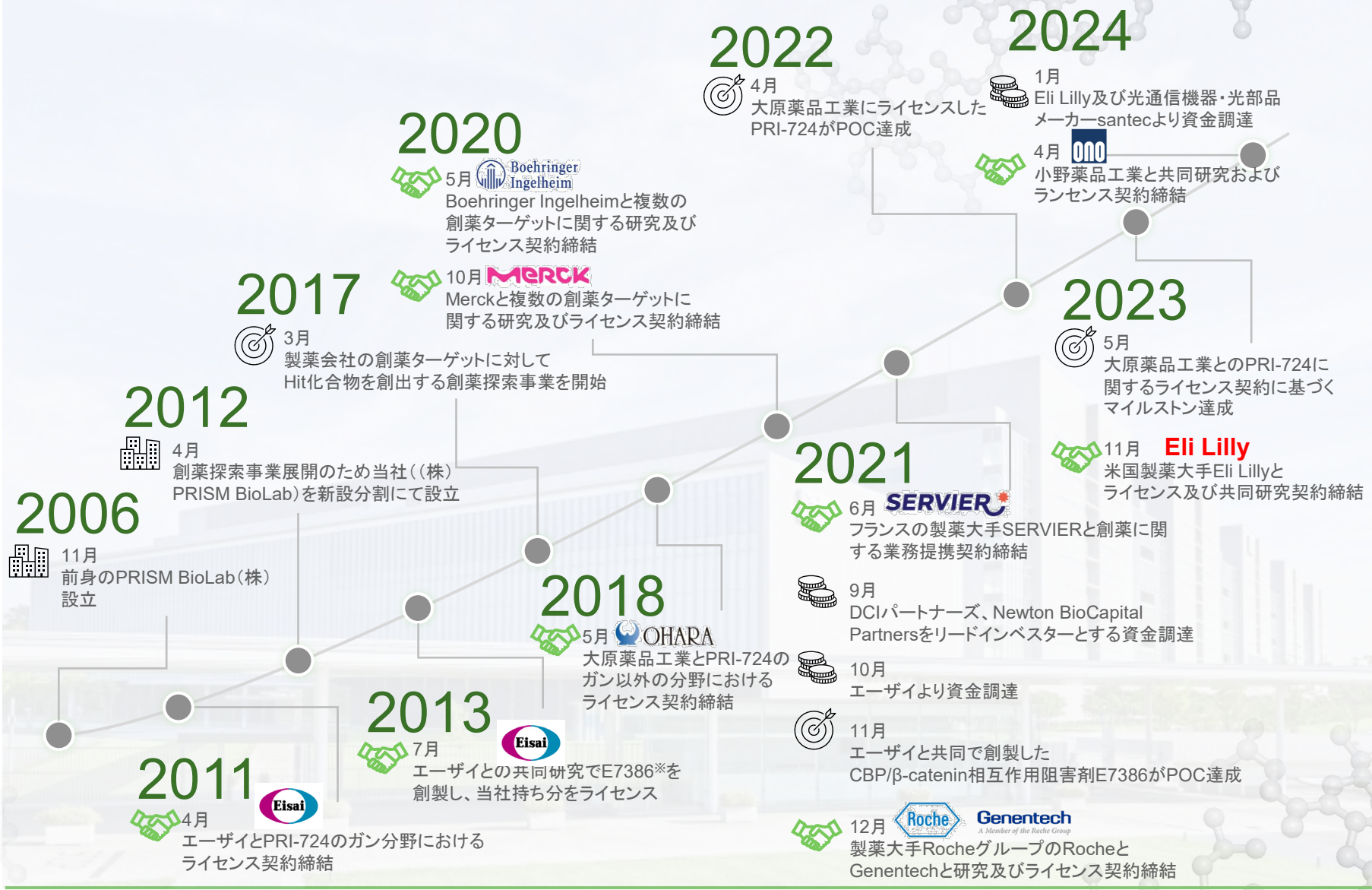
資金調達実績(百万円 / 2017年～2024年3月末)※2



株主構成 (2024年4月末時点)※3



沿革



マネジメント



竹原 大
代表取締役

- リクルートを経て、ヘルスケア関連ベンチャー企業であるアドバンテッジリスクマネジメントおよびザイオソフトの経営をリード。
- 2011年にCFOとして当社に参画し、2016年CEO就任。
- 京都大学工学部卒業、Northwestern大学Kellogg経営大学院MBA取得。



前田 倫宏
取締役CFO

- USENIにてM&A、IR、事業再生、アボットジャパン及びアイリスにてCFO、財務責任者、プロメセラバイオサイエンスではIPO、資金調達等、多岐に渡る財務業務を経験。
- 2022年に当社に参画し、取締役就任。
- 米国テキサス州オースティンカレッジ経済学部卒業。



朴 熙万
取締役(R&D)

- ノバルティス筑波研究所およびNovartis Institute for BioMedical Research (NIBR) Cambridge研究所にて創薬研究に従事。
- ラクオリア創薬の生物部長、名古屋大学特任教授等を歴任し、創薬研究・産学連携等をリード
- 名古屋大学農学部卒業、同大学大学院生命農学研究科博士課程修了、博士(農学)。

社外取締役

社外取締役
古島 ひろみ

監査役

常勤監査役
石黒 雄児

監査役
田島 照久

監査役
河田 喜一郎

監査役
眞谷 俊誠

外部アドバイザー

Scientific Advisory Board (科学諮問委員会)

事業開発

創薬研究の各ステージの専門家および各疾患領域の専門家により組織され、当社研究員が立案した新規創薬プログラムの妥当性を多面的に協議・検討する役割を担う



Dr. Shi Yin Foo

- ハーバード大学にてMS、スタンフォード大学にてMD, PhDの学位を取得
- トランスレーショナルリサーチ専門家
- 元Novartisトランスレーショナルエキスパート



Dr. Guy Heynen

- リエージュ大学にてMD, PhD学位を取得
- 医薬開発フェーズ専門家
- 元Pfizer International Medical Director



Dr. Dean Rigel

- ケースウェスタンリザーブ大学にてPhDの学位を取得
- 生体内薬学専門
- NovartisにてEntresto, Inrusisaを含む11の化合物を臨床試験に進めた経験を持つ



Dr. Doriano Fabbro

- バーゼル大学にてPhDの学位を取得
- Novartisにて、ガン領域の創薬部門ヘッド
- Imatinib, Nilotinb, Asciminib, Afinitor等の医薬品開発に従事



Dr. Hiroshi Nagabukuro

- 東京大学にてPhDの学位を取得
- ARTham共同創業者およびCEO
- Merckにてリサーチフェロー
- 武田薬品にてシニアディレクター



Ivan Plavec

- チューリッヒ大学にて博士号の学位を取得
- ImaginAbでは最高事業責任者、BioSeekとAsterandでは事業開発担当副社長、Bioseekでは技術およびアライアンス担当副社長、Novartisでは研究担当ディレクターを歴任

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

Appendix

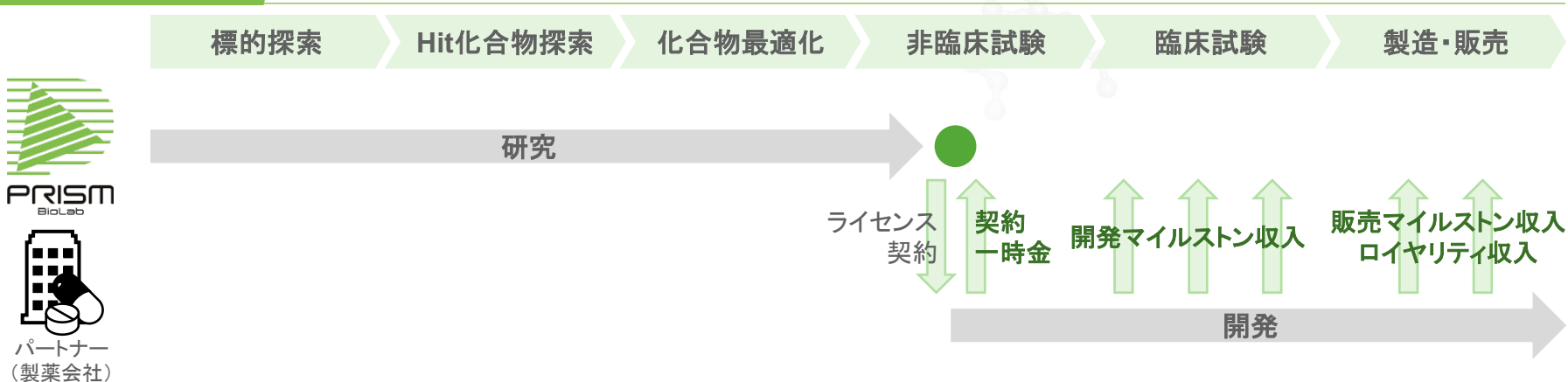


当社のビジネスモデル

自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

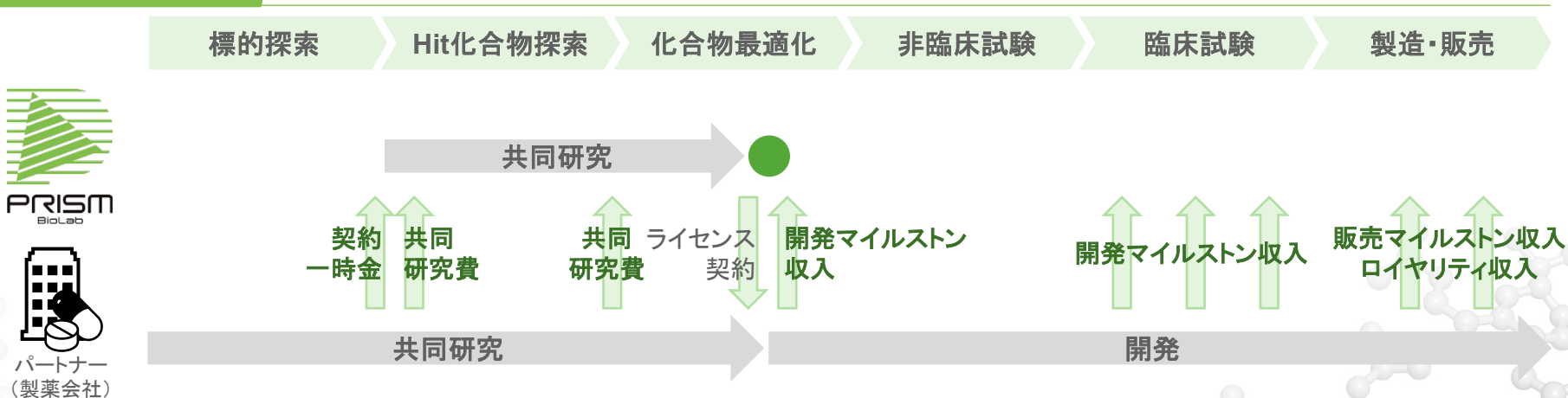
自社開発事業

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



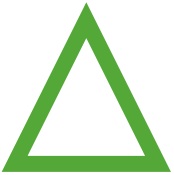
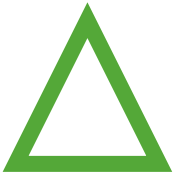
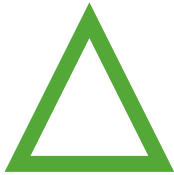




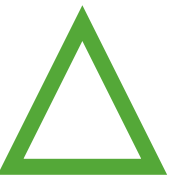
共同開発事業

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

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

Appendix



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

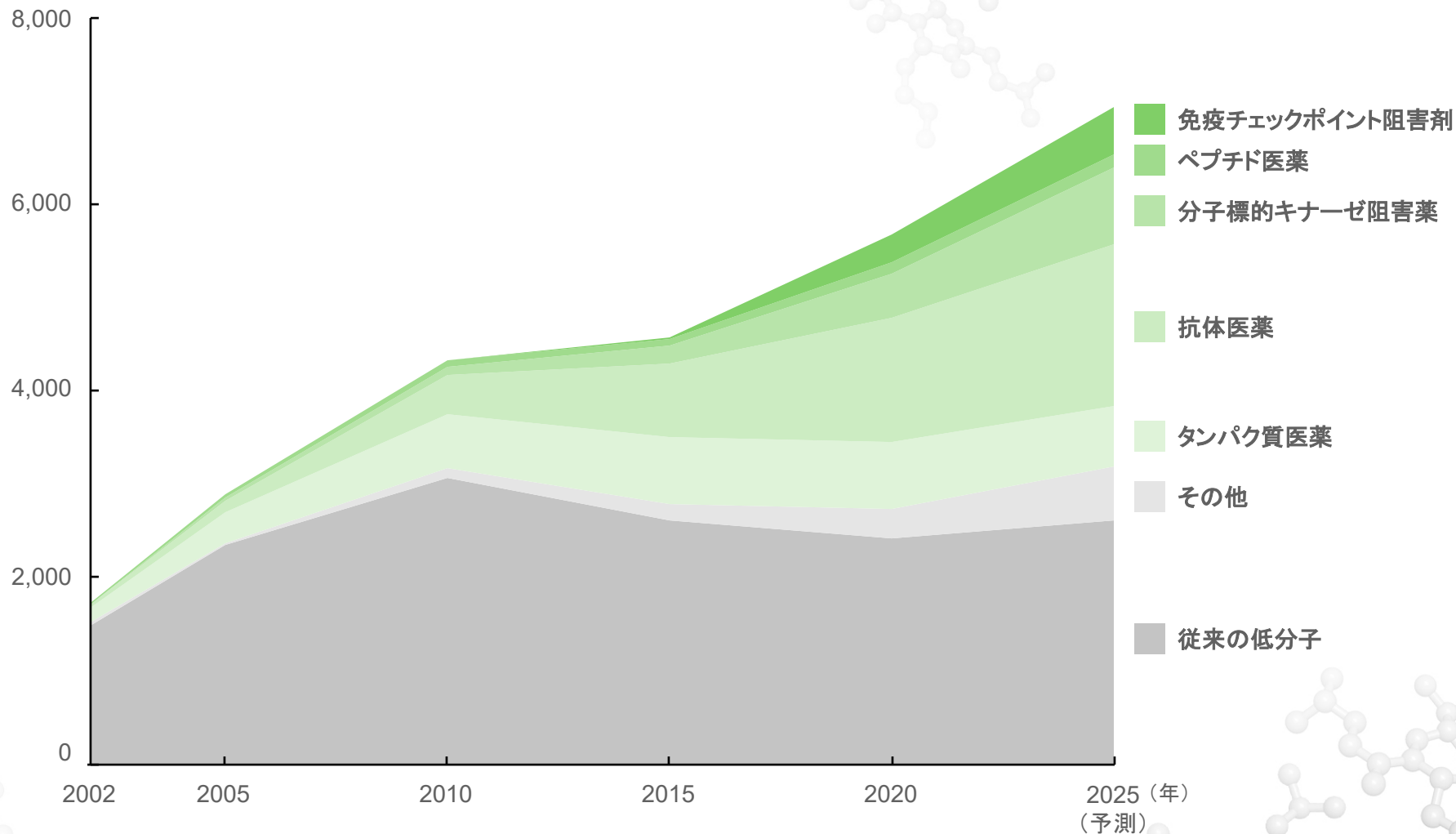
PRISM
BioLab

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

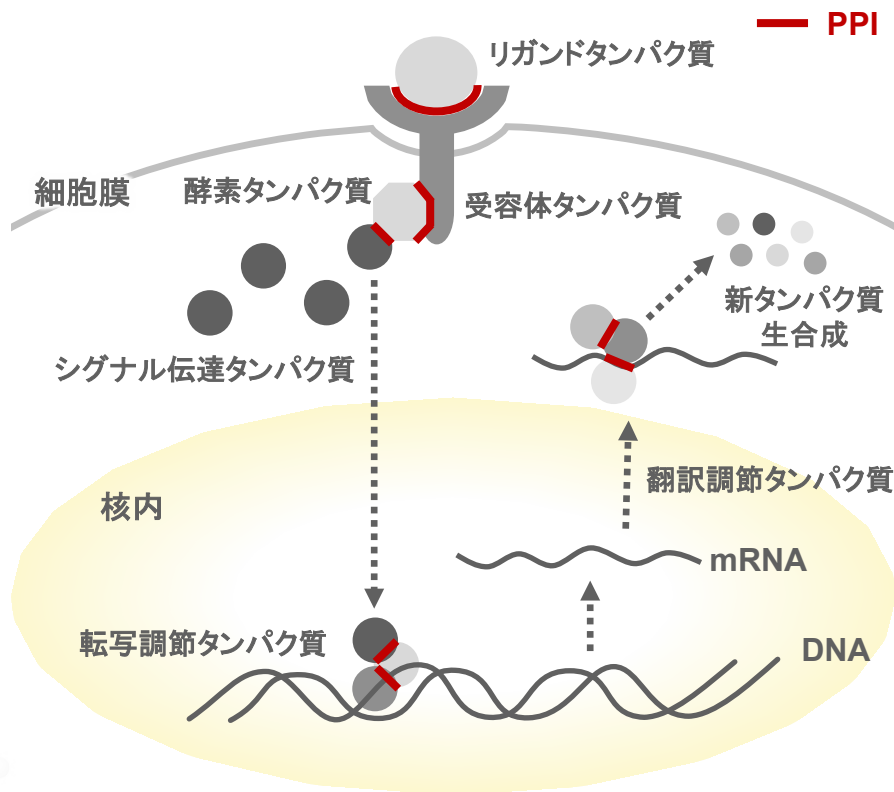
(年間売上高: 億ドル)



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



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

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

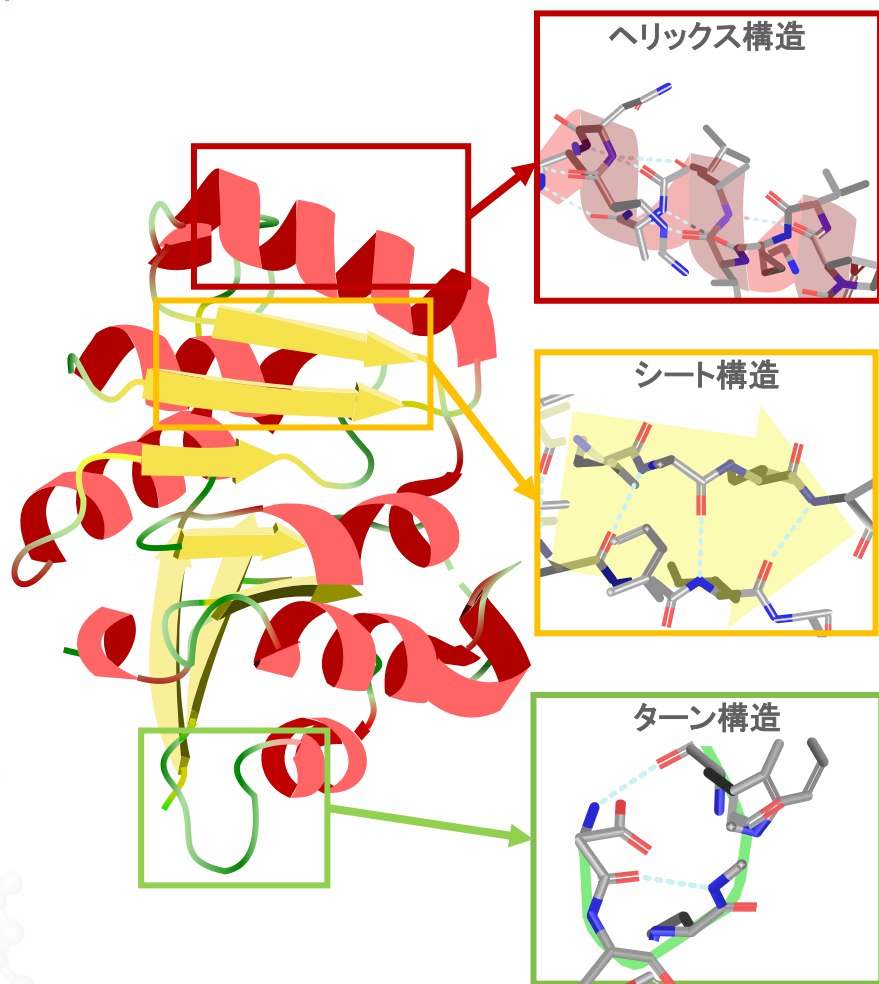
キナーゼ阻害剤より潜在的に大きな市場が見込まれる

	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	-

PPIで重要な役割を担うヘリックス構造

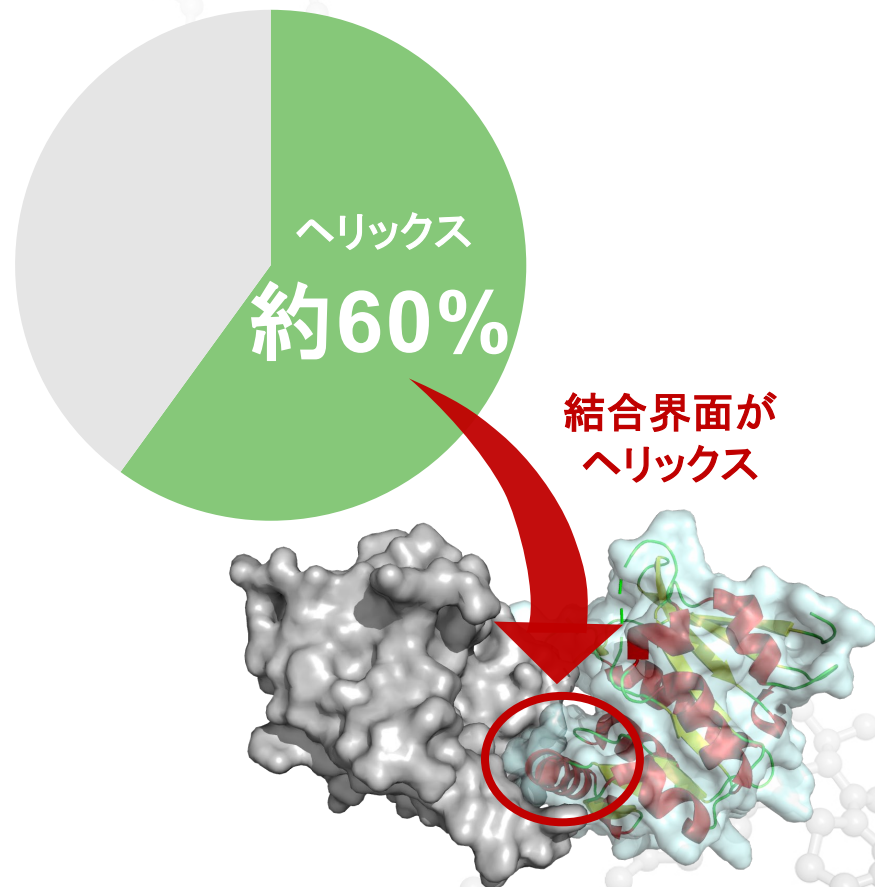
PPIにおいてヘリックス構造は重要な役割を担っている

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

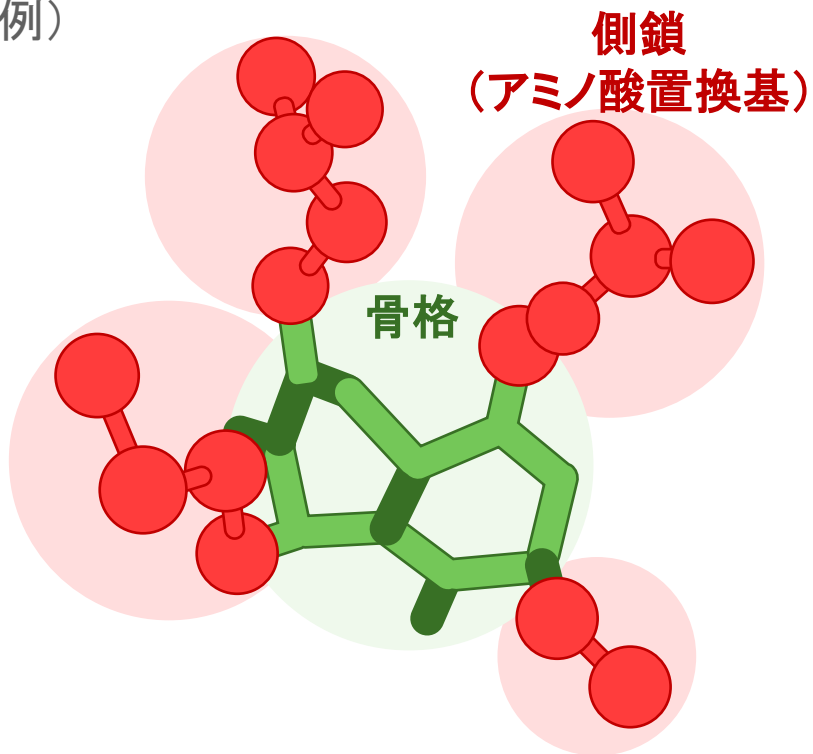


当社のプラットフォーム基盤技術「PepMetricsテクノロジー※」

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

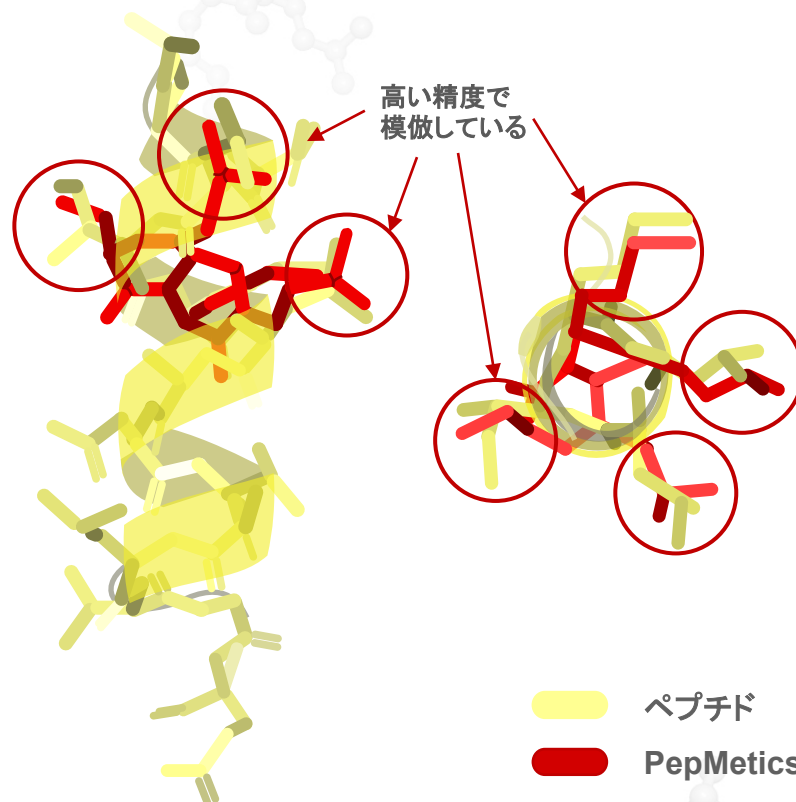
PepMetrics化合物の構造

(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

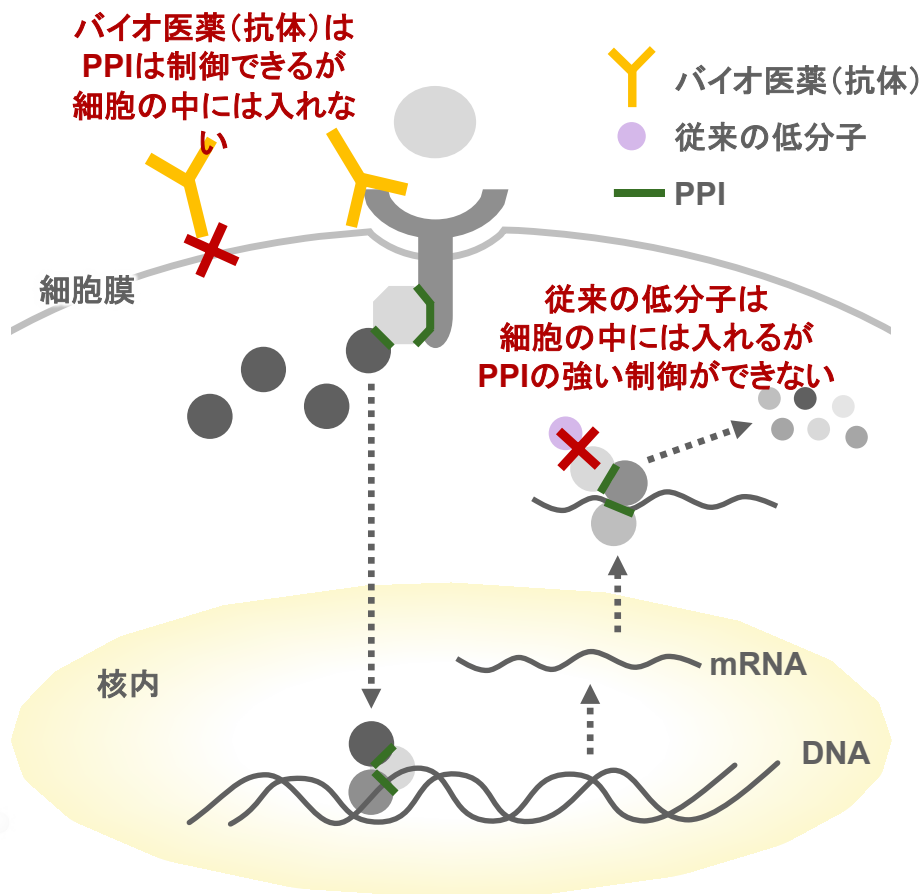
PepMetricsはヘリックス構造を高い精度で模倣



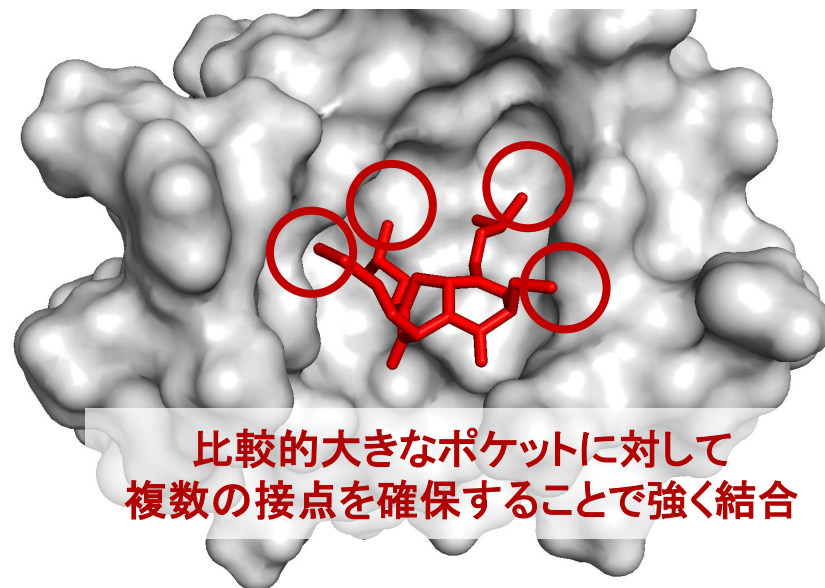
安定構造の骨格により
ヘリックス構造を高い精度で
模倣することが可能

「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



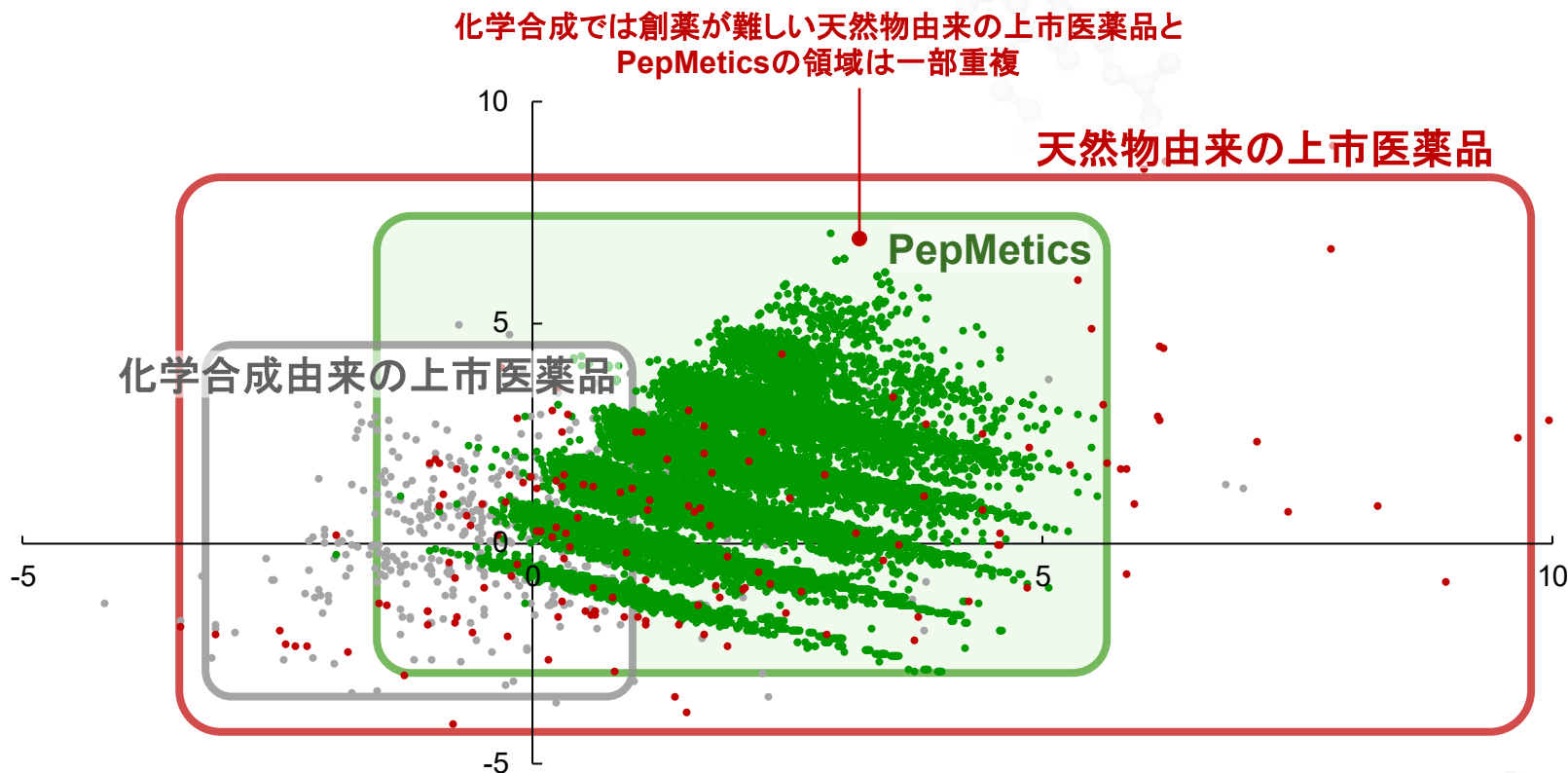
PepMetrics



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

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



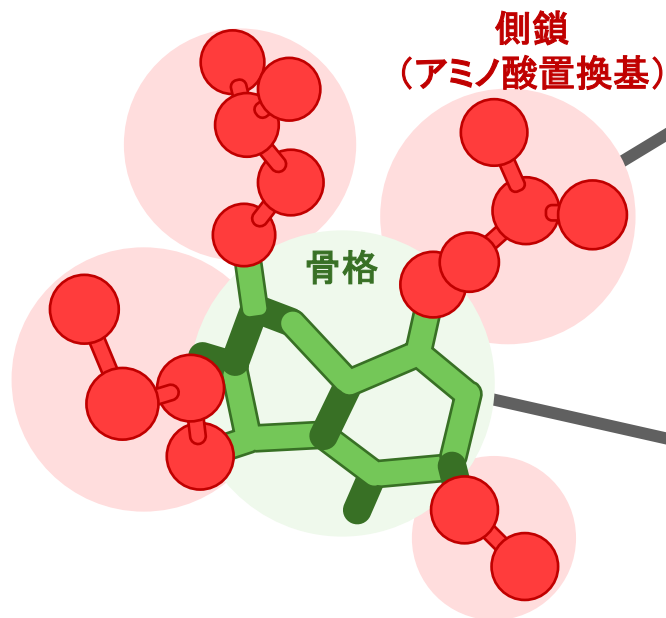
PepMetricsは天然物に近い特徴を有しており、従来の合成化合物では創薬不可能とされてきた標的に対して多くのHit化合物を創出

※: 論文「Property distributions: differences between drugs, natural products, and molecules from combinatorial chemistry」に記載の方法に従い、2015年10月31日以前に上市された医薬品を基に当社で主成分分析を行いグラフを作成。横軸は第1主成分、縦軸は第2主成分を示す

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Hit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



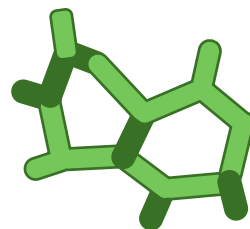
多様なアミノ酸側鎖

50種類※2~

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

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

| 04 進捗するパイプライン



05 成長戦略

Appendix



自社開発事業

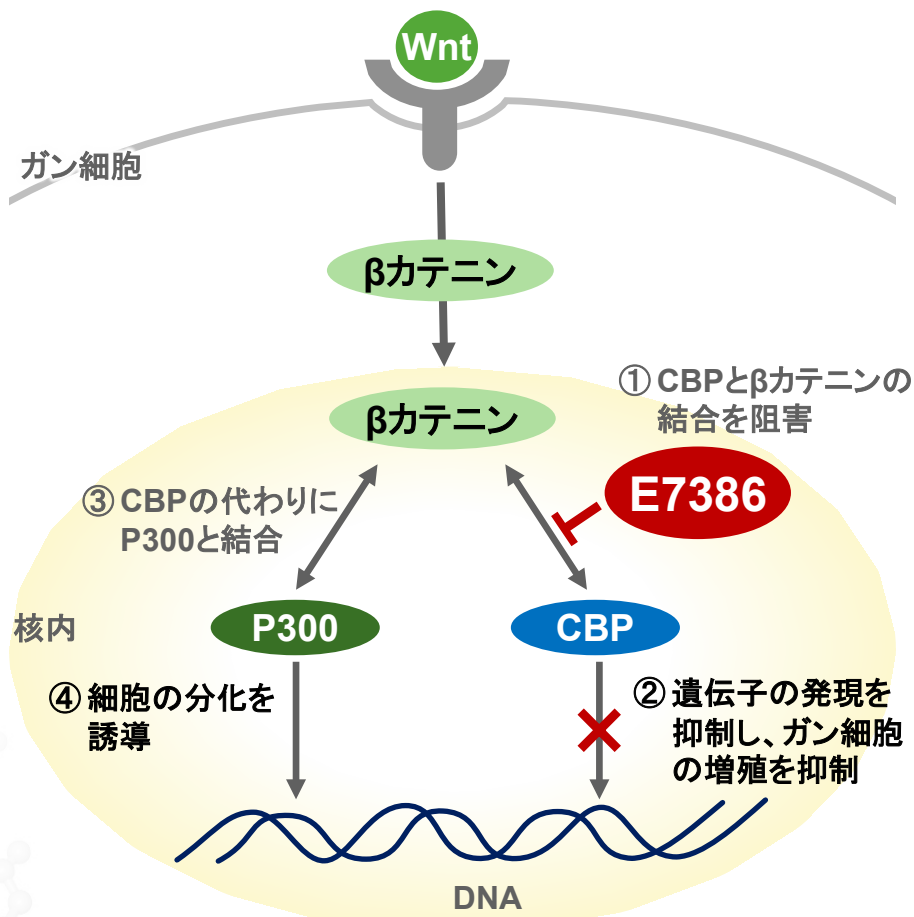
大手製薬企業2社とライセンス契約を締結

提携先	契約締結年月	経済条件	契約内容及び進捗状況
	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 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(ヒトPOC達成)

E7386の作用機序

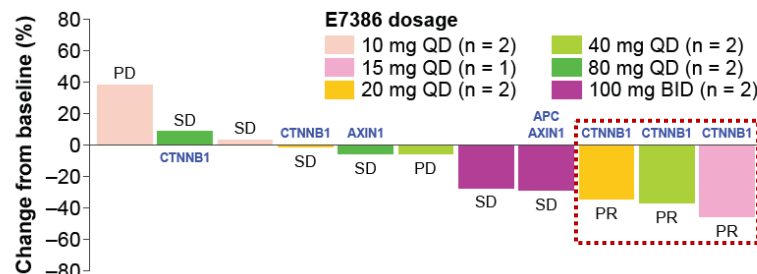


第Ib相試験の臨床試験データ

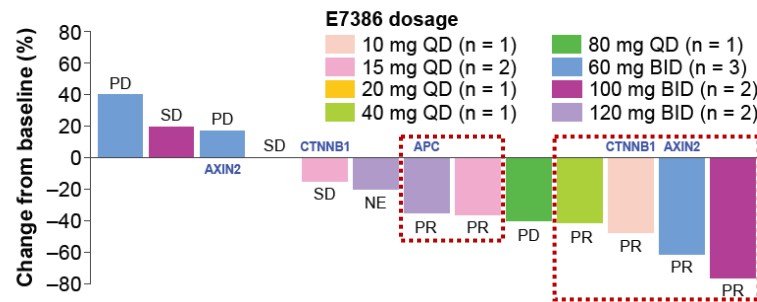
<米国臨床腫瘍学会(ASCO)発表概要> ※用量漸増パート
CBP/β-catenin相互作用阻害剤E7386は、レンパチニブとの併用療法による進行性肝細胞ガンを対象とした第Ib相試験において効果を示した(NCT04008797)。

- ✓ 治療を受けた25人の患者(A、B合計)のうち、mRECIST評価基準を用いて9人(36.0%)でPR(Partial Response)が認められた。うち、以前にレンパチニブの投与を受けていた11人の患者(A)においても、3人がPRを示した。※2

A) レンパチニブ投与歴あり



B) レンパチニブ投与歴なし



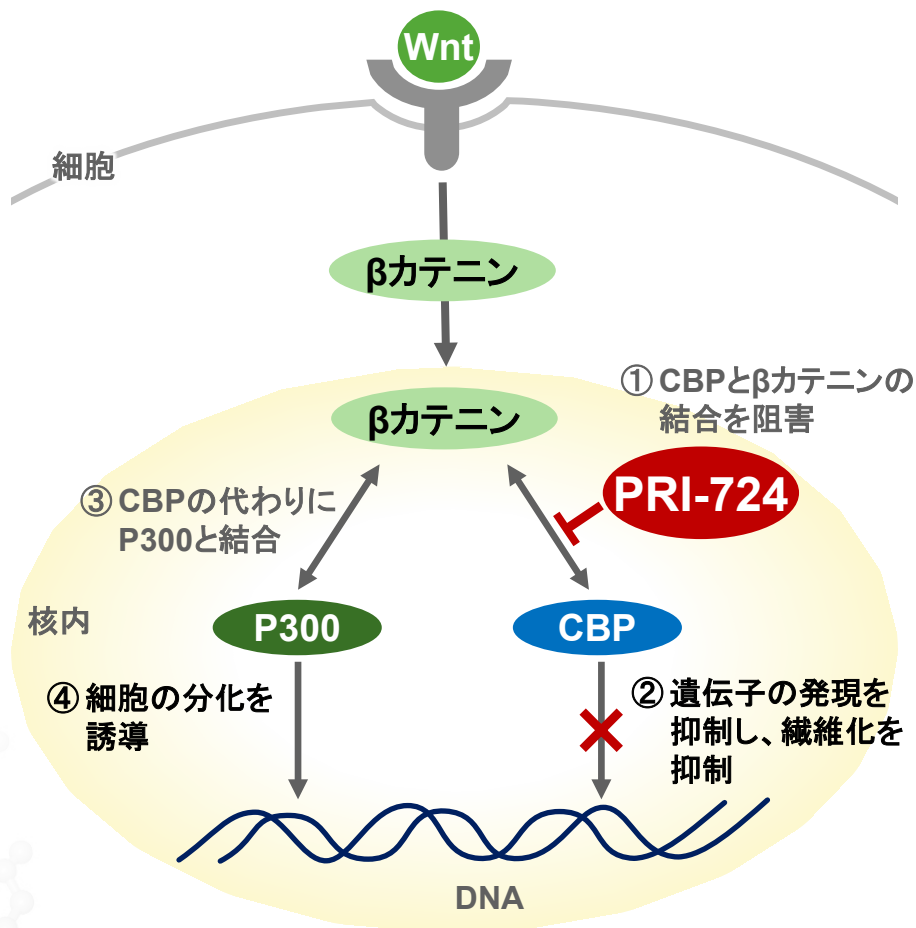
- ✓ 良好な忍容性と管理可能な安全性プロファイルを示した。

※1: E7386はエーザイと共同創製した化合物

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

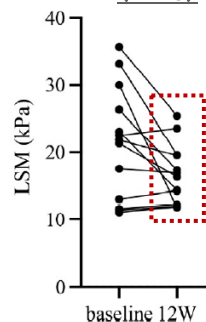


第I/IIa相試験の臨床試験データ

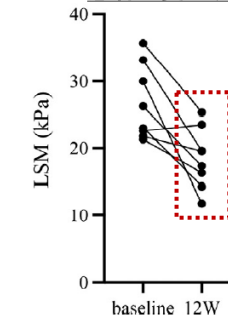
CBP/βカテニン阻害薬PRI-724は、C型またはB型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者を対象とした第I/IIa相試験において、肝硬度および肝機能を改善した(NCT03620474)。

✓ 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)

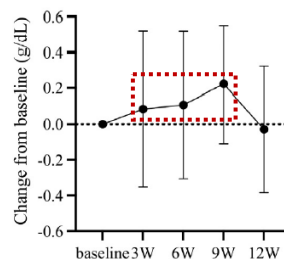


うち、LSM20kPa以上(重度)の患者の変化(n=8)

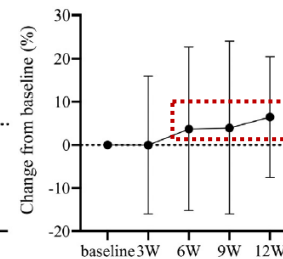


✓ PRI-724投与による肝機能: 血清アルブミン値、総ビリルビン値及びプロトロンビン時間において、ベースラインに対する改善が認められた。

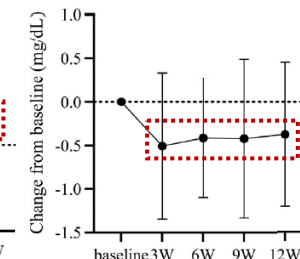
血清アルブミン値(n=14)



プロトロンビン時間(n=14)









総ビリルビン値(n=14)



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Hit化合物のスクリーニングのためにPepMetrics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、Hit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Hit化合物のスクリーニングのためにPepMetrics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Hit化合物のスクリーニングのためにPepMetrics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。

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日付けでガン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、小野薬品の創薬標的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、及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 ライセンス及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及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の創薬標的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。

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

Appendix



今後の成長に関するイメージ図

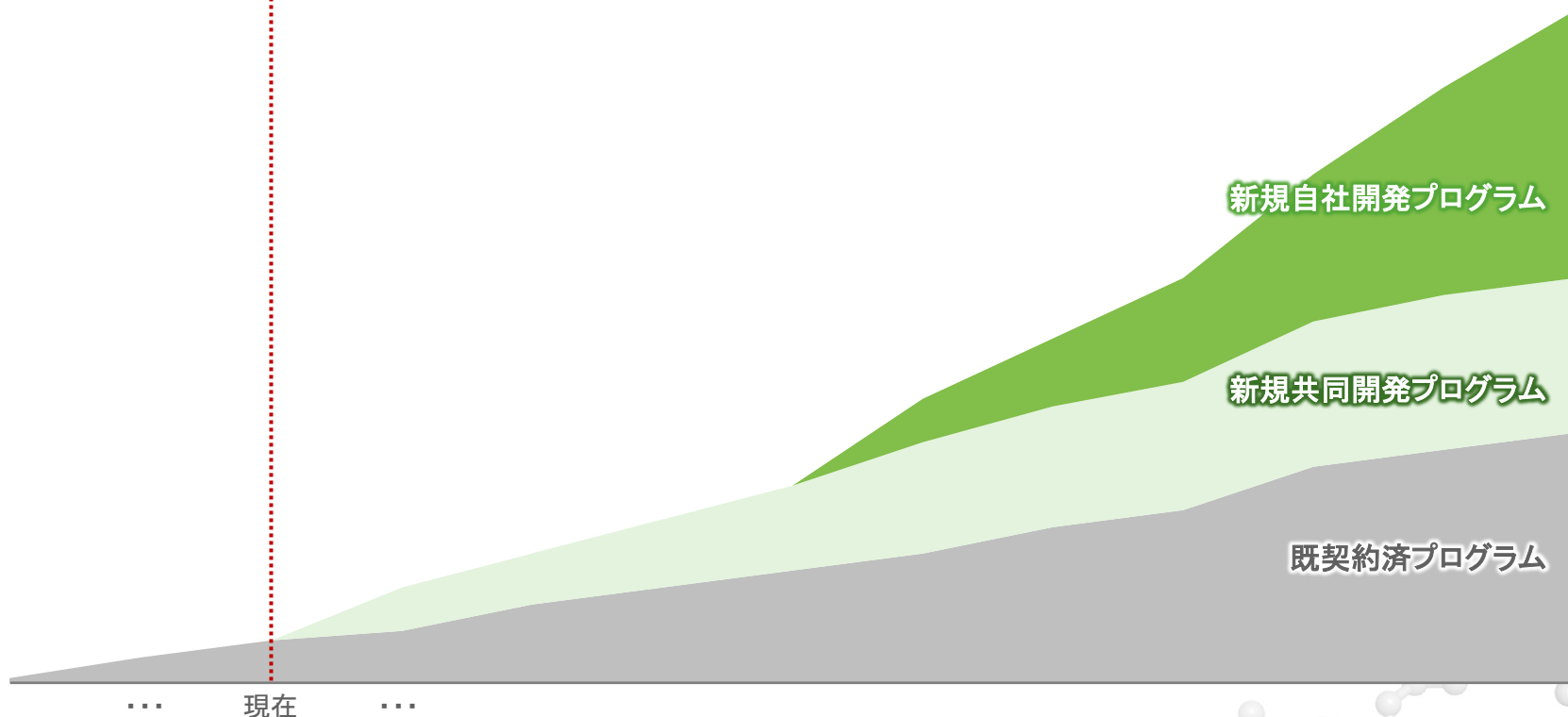
契約積み上げにより新規契約本数の増加、契約規模の拡大を目指す

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
- 低額であるものの、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



パイプライン創出のための取り組み

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

- インシリコ創薬
- 物性の予測
- 活性の予測
- 標的探索

AI・情報科学

PepMetricsの特定の化合物空間の中で多くのデータを蓄積していることと、アミノ酸配列情報を低分子に置き換えられることでAIとの親和性が高い

評価技術

化合物の薬理的・生物物理学的評価を内製化し、新規合成化合物の改善度を速やかに検証可能とする

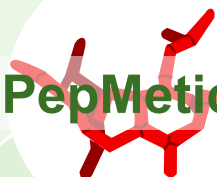
化合物空間

新規骨格やライブラリー合成で新たな化合物空間をカバーし、より多くの標的に対応する

創薬標的

PepMetricsに適した創薬標的を効率的に抽出することにより、研究開発の効率と将来価値を高める

PepMetrics



- 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
- 対応できる創薬標的の拡張

- SABによる標的の検証
- トランスレーショナル創薬
- PepMetrics技術に適した標的の探索手法開発

運用開始／継続拡充
技術開発中
今後開発予定

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、Hit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	支出予定時期(千円)		
		2024年9月期	2025年9月期	2026年9月期
<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	141,845	708,178	632,672
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	229,195	61,650	17,380

目次

01 コーポレートハイライト

02 ビジネスモデル

03 PepMetrics技術

04 進捗するパイプライン

05 成長戦略

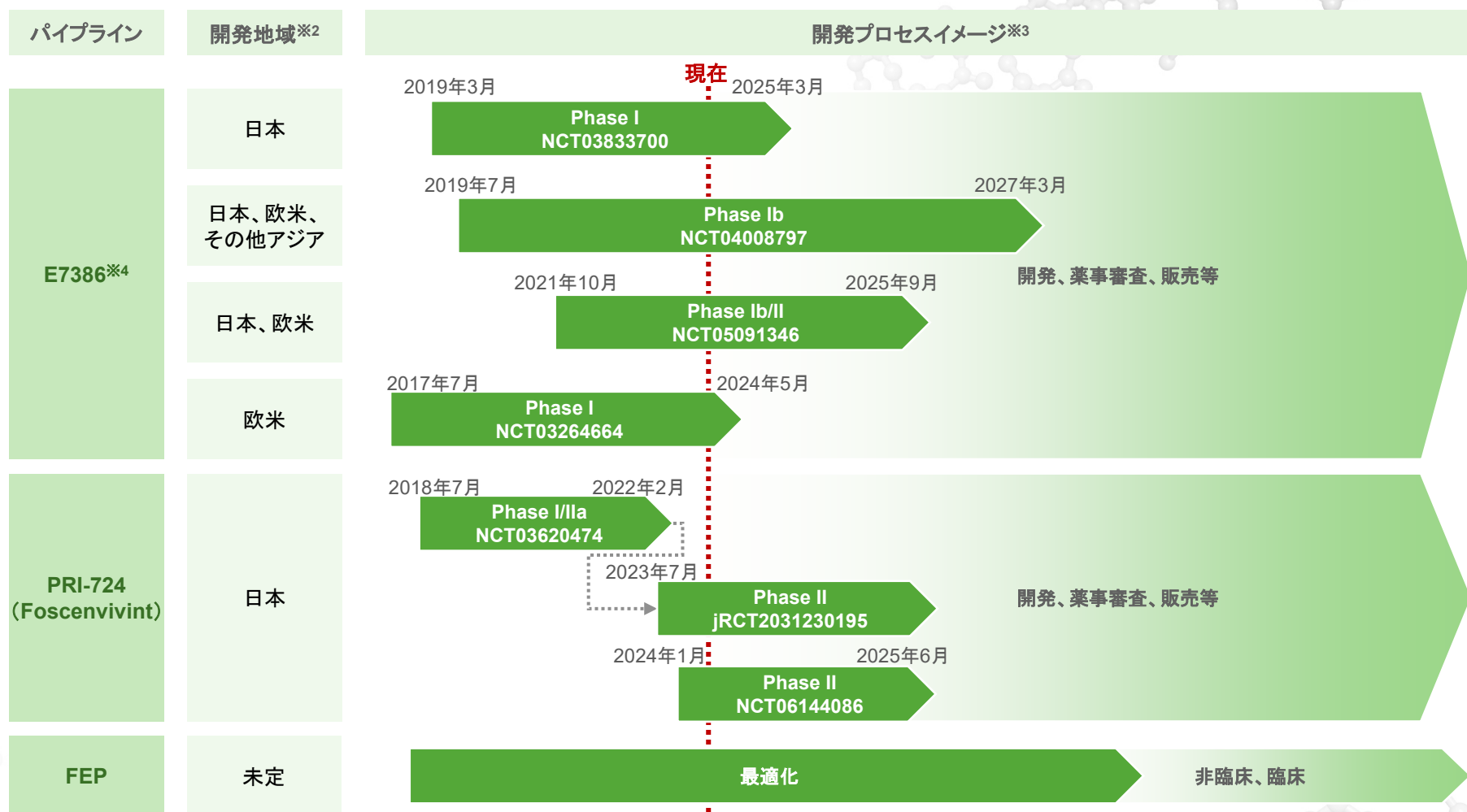
Appendix



特許

特許番号		特許名
WO番号	日本国内	
WO2009/148192	第5530427号	アルファヘリックスミメティック及び関連の方法
WO2010/044485	第5545573号	アルファヘリックスミメティック及び関連の方法
WO2010/128685	第5768239号、 第6040344号(分割登録)	アルファヘリックスミメティック及び関連の方法
WO2014/092154	第6303112号	肝線維症の予防または治療剤
WO2015/056104	第6507336号	CBP／カテニン阻害剤を用いる肝線維症の治療
WO2015/098853	第6085040号	(6S, 9aS)-N-ベンジル-6-[(4-ヒドロキシフェニル)メチル]-4,7-ジ オキソ-8-([6-[3-(ピペラジン-1-イル)アゼチジン-1-イル]ピリジン -2-イル]メチル)-2-(プロプ-2-エン-1-イル)-オクタヒドロ-1H-ピ ラジノ[2,1-c][1,2,4]トリアジン-1-カルボキサミド化合物
WO2015/098857	第7169695号	ピラジノ[2,1-c][1,2,4]トリアジン化合物の結晶(1)
WO2016/204193	第6757959号	抗がん剤
WO2022/014724	-	新規ヘテロ環化合物
WO2022/075486	-	新規二環性化合物
WO2022/158610	-	新規二環性化合物
WO2023/090366	-	抗がん剤および心機能改善剤
WO2023/140369	-	PHOSPHORIC ACID DERIVATIVES
WO2023/200017	-	NOVEL SEVEN-MEMBERED RING-FUSED COMPOUNDS

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2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2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。

臨床試験の概要※1: E7386※2 (臨床試験実施者: エーザイ)

第I相試験: NCT03833700

試験名称	大腸ガンを含む固形ガン患者を対象としたE7386の非盲検第I相試験
実施国	日本
対象疾患	固形ガン、大腸ガン、消化器ガン小腸ガン、デスモイド腫瘍、副腎皮質ガン、膵臓の充実性偽乳頭状腫瘍
目標症例数	70例
臨床試験期間※3	2019年3月～2025年3月(予定)
主要評価項目	安全性 用量制限毒性(DLT)、有害事象(AE、SAE)
副次評価項目	有効性、薬物動態

第Ib相試験: NCT04008797

試験名称	固形ガン患者を対象としたE7386 と他の抗ガン剤(レンパチニブ)との併用療法の非盲検第Ib相試験
実施国	日本、韓国、台湾、アメリカ、フランス
対象疾患	肝細胞ガン、固形ガン、大腸ガン、子宮体ガン
目標症例数	181例
臨床試験期間※3	2019年7月～2027年10月(予定)
主要評価項目	安全性 用量制限毒性(DLT)、有害事象(AE、SAE)
副次評価項目	薬物動態および薬効 BOR、ORR、DCR、CBR、PFS、OS、DOR

第Ib/II相試験: NCT05091346

試験名称	前治療歴のある特定の固形ガン患者を対象としたE7386とペムブロリズマブの併用に関する非盲検多施設第Ib/II相試験
実施国	日本、アメリカ、フランス、スペイン、UK
対象疾患	転移性又は切除不能の悪性黒色腫、転移性又は切除不能の肝細胞ガン、転移性又は切除不能の大腸ガン
目標症例数	156例
臨床試験期間※3	2021年10月～2025年9月(予定)
主要評価項目	第Ib相: 用量制限毒性(DLT)、有害事象(TEAEs) 第II相: 客観的奏効率(ORR)
副次評価項目	第Ib相: 薬効、併用における薬物動態 BOR、DOR、DCR、CBR 第II相: 併用における安全性および薬物動態 DOR、DCR、CBR

第I相試験: NCT03264664

試験名称	特定の進行性腫瘍を対象としたE7386の非盲検多施設第I相試験
実施国	アメリカ、UK
対象疾患	デスモイド腫ガン、甲状腺未分化ガン、子宮内膜ガン、黒色腫、結腸直腸ガン、肝細胞ガン、膵ガン、前立腺ガン、卵巣ガン、頭頸部ガン 等
目標症例数	60例
臨床試験期間※3	2017年7月～2024年5月(予定)
主要評価項目	安全性 用量制限毒性(DLT)、有害事象(TEAE) 推奨第II相用量(RP2D)の決定
副次評価項目	ORR、PFS、薬物動態

※1: 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2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。

※2: E7386はエーザイと共同創製した化合物

※3: 臨床試験期間は、2024年2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。

出所: jRCT、ClinicalTrials.gov

臨床試験の概要※1: PRI-724

第I/IIa相試験: NCT03620474

試験名称	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PRI-724の第I/IIa相臨床試験
実施国	日本
臨床試験実施者	医師主導治験
対象疾患	C型またはB型肝炎硬変
症例数	27例
臨床試験期間※2	2018年7月～2022年2月
主要評価項目	第I相: 重篤な副作用発現割合 第IIa相: 生検肝組織線維化面積割合の変化量
副次評価項目	第I相: 有害事象発現割合、副作用発現割合、薬物動態 第IIa相: 肝硬度、Child-Pugh Score、MELDスコア、肝生検modified Histology Activity Index(HAI)

第II相試験: jRCT2031230195

試験名称	HCV・HBV又はNASHに起因する非代償性肝硬変患者を対象としたPRI-724 (Foscenvivint)の多施設共同プラセボ対照無作為化二重盲検比較試験(第II相)
実施国	日本
臨床試験実施者	大原薬品工業
対象疾患	HCV・HBV又はNASHに起因する非代償性肝硬変
目標症例数	93例
臨床試験期間※2	2023年7月～2025年6月(予定)
主要評価項目	Child-Pughスコア
副次評価項目	Child-Pughスコア、ALBIスコア、肝硬度、血清線維化マーカー等

第II相試験: NCT06144086

試験名称	血友病合併ヒト免疫不全ウイルスとC型肝炎ウイルスの重複感染に起因する肝硬変患者を対象としたPRI-724 (Foscenvivint)の多施設共同無対照非盲検試験(第II相)
実施国	日本
臨床試験実施者	医師主導治験
対象疾患	血友病合併ヒト免疫不全ウイルスとC型肝炎ウイルスの重複感染に起因する肝硬変
目標症例数	6例
臨床試験期間※2	2024年1月～2025年6月(予定)
主要評価項目	ALBIスコア
副次評価項目	Child-Pughスコア、ALBIスコア、肝硬度、血清線維化マーカー等

※1: 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2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。

※2: 臨床試験期間は、2024年2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。

出所: jRCT、ClinicalTrials.gov、UMIN-CTR

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

財務諸表(日本基準):貸借対照表

(単位:千円)

	2022年9月期	2023年9月期
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	1,687,993	1,133,943
売掛金	21,721	-
前渡金	6,303	-
前払費用	14,405	17,929
未収消費税等	-	40,248
その他	1,695	5,482
流動資産合計	1,732,119	1,197,604
固定資産		
有形固定資産		
建物	126	126
減価償却累計額	△126	△126
建物(純額)	0	0
機械及び装置	21,210	21,210
減価償却累計額及び減損損失累計額	△21,209	△21,209
機械及び装置(純額)	0	0
工具、器具及び備品	6,859	43,479
減価償却累計額及び減損損失累計額	△6,859	△43,479
工具、器具及び備品(純額)	0	0
有形固定資産合計	0	0
投資その他の資産		
その他	8,037	13,821
投資その他の資産合計	8,037	13,821
固定資産合計	8,037	13,821
資産合計	1,740,156	1,211,426

(単位:千円)

	2022年9月期	2023年9月期
負債の部		
流動負債		
未払金	28,074	38,603
未払費用	2,493	5,064
未払法人税等	1,210	1,210
契約負債	4,464	13,157
預り金	3,327	5,204
未払消費税等	25,486	-
流動負債合計	65,056	63,240
固定負債		
資産除去債務	170	170
固定負債合計	170	170
負債合計	65,226	63,410
純資産の部		
株主資本		
資本金	12,246	12,246
資本剰余金		
資本準備金	1,148,366	1,148,366
その他資本剰余金	480,200	480,200
資本剰余金合計	1,628,566	1,628,566
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	33,693	△493,220
利益剰余金合計	33,693	△493,220
株主資本合計	1,674,506	1,147,591
新株予約権	423	423
純資産合計	1,674,930	1,148,015
負債純資産合計	1,740,156	1,211,426

財務諸表(日本基準): 損益計算書

(単位:千円)

	2022年9月期	2023年9月期
売上高	554,396	112,926
売上原価	19,259	32,620
売上総利益	535,136	80,305
販売費及び一般管理費	468,454	577,174
営業利益又は営業損失(△)	66,681	△496,868
営業外収益		
受取利息	21	19
為替差益	13,458	-
助成金収入	464	70
その他	16	-
営業外収益合計	13,960	89
営業外費用		
株式交付費	1,860	-
為替差損	-	770
その他	116	-
営業外費用合計	1,976	770
経常利益又は経常損失(△)	78,666	△497,550
特別損失		
固定資産除却損	0	2
減損損失	4,508	28,151
特別損失合計	4,508	28,154
税引前当期純利益又は税引前当期純損失(△)	74,157	△525,704
法人税、住民税及び事業税	1,210	1,210
法人税等調整額	△15	-
法人税等合計	1,194	1,210
当期純利益又は当期純損失(△)	72,962	△526,914

用語説明(1/2)

用語	解説
タンパク質相互作用 (PPI: Protein-Protein Interaction)	複数のタンパク質分子が状態に応じて特異的複合体を形成する現象。
(化合物)ライブラリー	新薬候補化合物のタネのもととなる化合物群のことであり、これらの化合物のひとつひとつは特徴的な性質を有する。創薬の初期段階において、数万～数百万の化合物群から成るライブラリーを生化学的に評価し、活性を持つ化合物を同定する。
シート構造	タンパク質の主要構造の一つ。アミノ酸の鎖(ペプチド鎖)が一直線に長く伸びて、平面的に並ぶ構造を形成する。
ターン構造	タンパク質の主要構造の一つ。3～4アミノ酸残基でポリペプチド主鎖がU字型のループ構造を形成する。
ヘリックス構造	タンパク質の主要構造の一つ。バネに似た右巻き螺旋の形をしている。骨格となるアミノ酸の全てのアミノ基は4残基離れたカルボキシル基と水素結合を形成する。
創薬標的	生体内にあり、疾患を引き起こす原因と深く関わっており、それを何らかの方法で制御することにより、その疾患を治療することを可能にさせる分子。標的分子、ターゲット分子などとも言う。

用語説明(2/2)

用語	解説
側鎖	鎖式化合物の分子構造で、最も長い炭素原子の連鎖(主鎖)から枝分かれしている部分。
β -カテニン	核内で他の様々な転写因子と結合して、細胞の増殖あるいは分化に関与する遺伝子の転写を制御する。
CBP	CREBBP(CREB-binding protein、サイクリックAMP 反応性エレメント結合タンパク質)とも称される、転写を調節するコアクチベーターとよばれる因子の一つで、 β カテニンと結合し、他の多くの転写因子とも協同しながら、様々な遺伝子の転写活性を調整する。
P300	CBPと類似の構造・機能を持ち、転写を調節するコアクチベーターとよばれる因子の1つ。多くの転写因子と結合して基本転写因子の活性を制御する性質をもつタンパク質。
線維症	内臓等の組織を構成している結合組織と呼ばれる部分が異常増殖する現象により、たとえば、心筋に線維化が生じたときには心臓の働きに異常が起き、呼吸困難や心悸亢進(動悸)等の症状が出る。また関節リウマチにおける骨の萎縮や変性、肝臓全体の線維化を示す肝硬変の病態等も、結合組織が線維化した例としてよく知られている。

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	新薬開発の不確実性について 発生可能性: 中 影響度: 大	<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	他社とのアライアンスにおけるリスク 発生可能性: 中 影響度: 中	<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4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)及び正社員22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。