

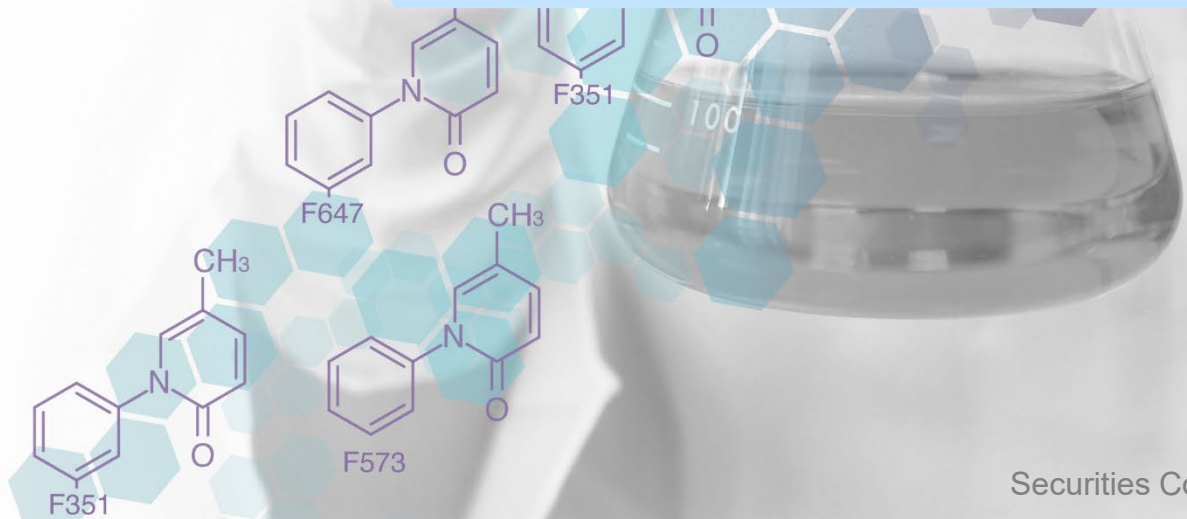


# 事業計画及び成長可能性に関する事項

2021年12月

株式会社ジーエヌアイグループ

アジアならびに世界中の患者の皆様へ新たな希望をお届けします



1. 会社概要
2. 事業のご紹介
3. 成長戦略
4. 当社グループのご紹介
5. 市場環境
6. 事業計画
7. リスク情報



# 1. 会社概要



## 会社概要

### ■ 本社住所

〒103-0023  
東京都中央区日本橋本町二丁目2-2  
日本橋本町Y Sビル3階

### ■ 設立

2001年11月

### ■ 資本金

10,884百万円 (2021年9月末現在)

### ■ 上場取引所

東証マザーズ (2007年8月/証券コード 2160)

### ■ 事業内容

製薬・販売及び医療機器事業に注力した、  
グローバルなヘルスケア企業

### ■ 取締役 代表執行役社長兼 CEO

イン・ルオ Ph.D.

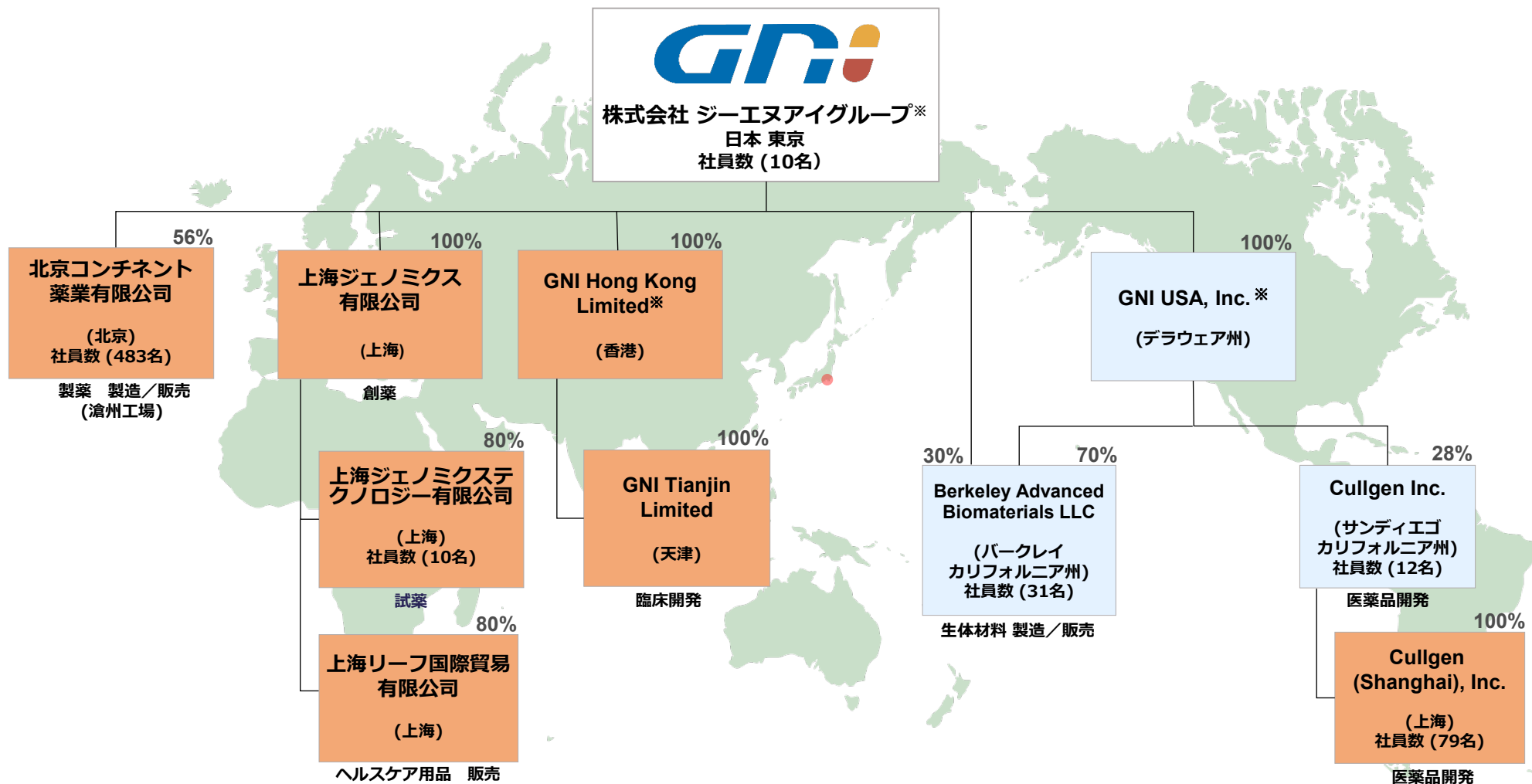
### ■ 社員数 (連結)

631名 (2021年11月末現在/派遣社員等含む)

### ■ 会計監査人

太陽有限責任監査法人

# グローバル 事業展開



※ ホールディング会社  
 中国/香港  米国

注1：主要投資先のみ記載しております。  
 注2：社員数は2021年11月末現在のものです。  
 注3：社員数は派遣社員等を含みます。

## 2. 事業のご紹介



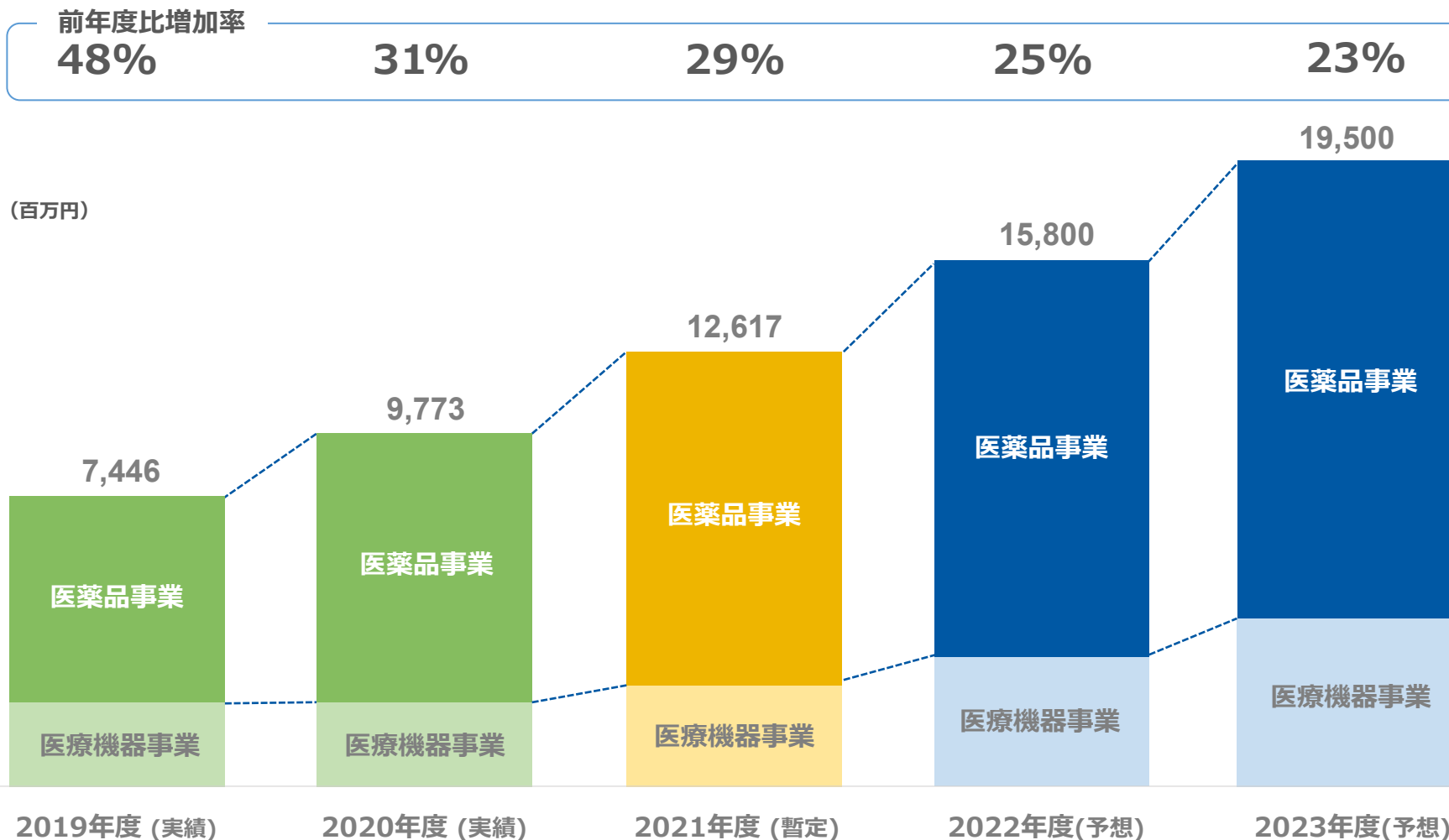
## 当社グループのビジョンと事業概要

### アジアならびに世界中の患者の皆様に新たな希望をお届けします

- ✓ 当社グループは日本に本社を置き、世界の主要証券取引所である日本市場に上場し、米国と中国において創薬、医薬品開発、生体材料開発、臨床試験、製造及び販売を行っているグローバルなヘルスケア企業です。
- ✓ 中国では、北京コンチネント薬業にて、肺、肝臓、腎臓の線維症をメインターゲットにした、新薬候補物の探索から、臨床開発や医薬品の製造・販売までを一貫して行っています。また、希少疾患と主要な疾病に関わるパイプラインを多数進めています。米国では、Cullgen が最先端の標的タンパク質分解誘導技術を活用した創薬事業を行っています。
- ✓ 米国における医療機器事業（生体材料）に関しては、Berkeley Advanced Biomaterials が、整形外科及びコスメティック領域における生体組織バンク（tissue bank biomaterials）の開発、製造及び販売を行っています。それら製品は世界においてプレミアムブランドの地位を確立しています。
- ✓ 各国の地利的優位性を活用します。
  - 米国のイノベーション力
  - 中国のコスト優位性
  - 世界最大のヘルスケア市場と、最も急成長しているヘルスケア市場へのアクセス
  - 世界の主要証券取引所が持つ資本への恒久的なアクセス

# 成長トレンド

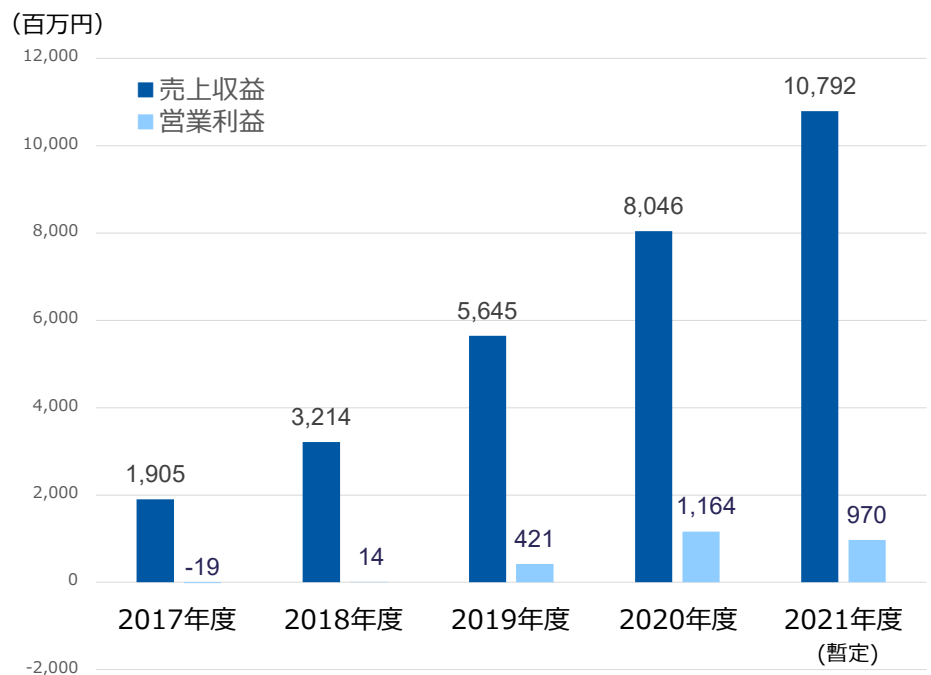
## 連結売上収益





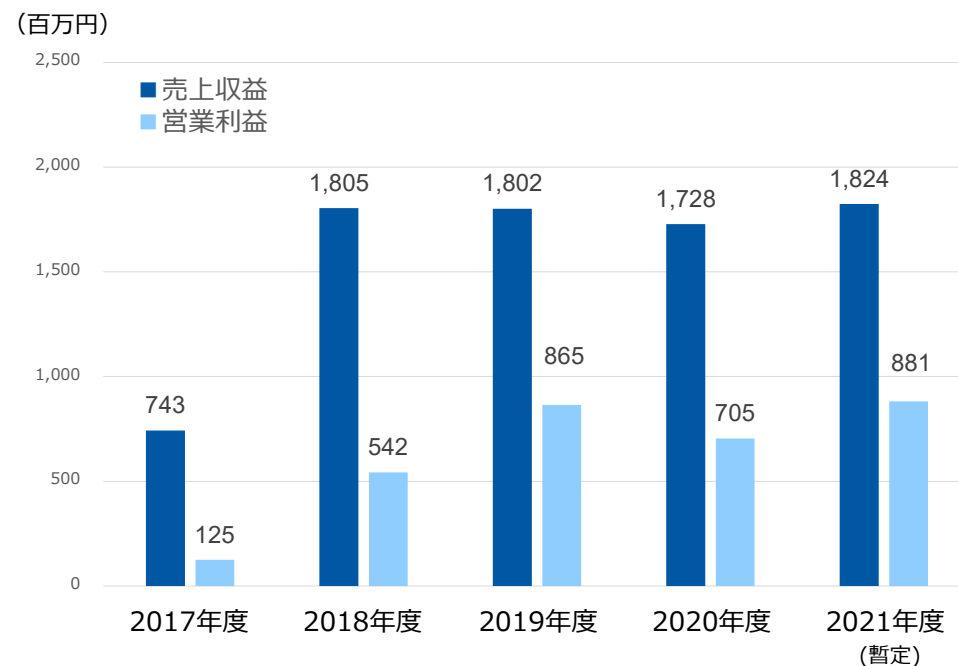
# セグメント別の業績

## 医薬品事業 売上収益及び営業利益



\* 3 四半期の実績を年換算

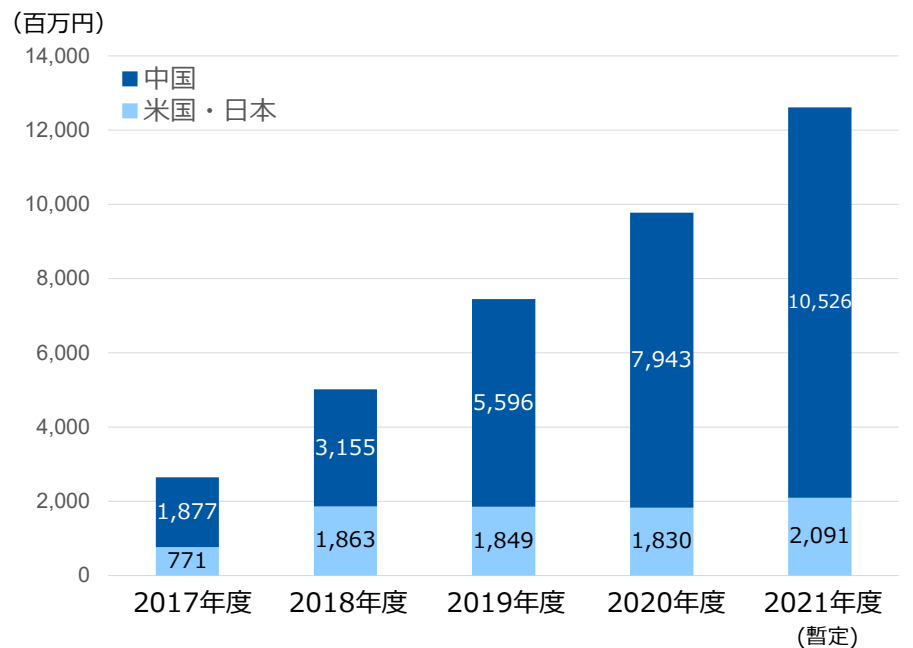
## 医療機器事業（生体材料） 売上収益及び営業利益



\* 3 四半期の実績を年換算

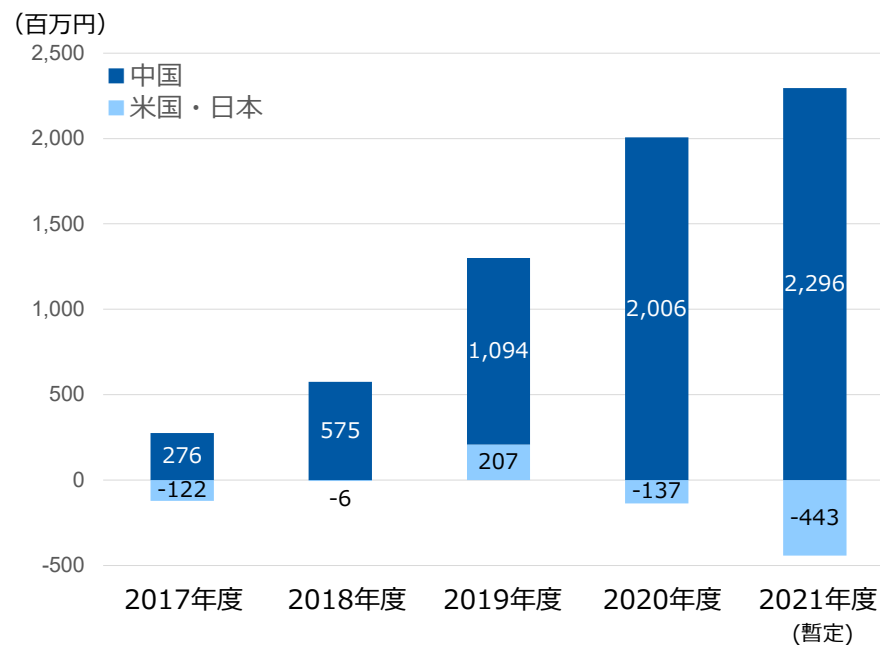
# 地域別の業績

地域別 売上収益



\* 3 四半期の実績を年換算

地域別 営業利益



\* 3 四半期の実績を年換算

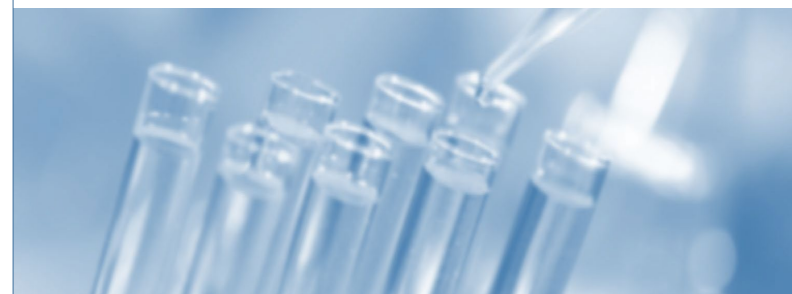
## 成長の前提条件

### 医薬品事業

- 中国における肺線維症治療薬の市場はコロナの状況に関わらず成長が見込まれています。
- 北京コンチネント薬業のアイスーリュイは厳しい競争に直面しつつも引き続き高い市場シェアを維持しています。
- 米国と中国において強固な医薬品開発パイプラインを保持しています。

### 医療機器事業（生体材料）

- Berkeley Advanced Biomaterialsはコロナの影響から脱し、良好な収益性を維持した成長をしています。
- 新規ビジネスとしてアジアにおけるコスメティック領域での展開を目指しています。



# 主要事業における競合環境と当社グループの強み

## 医薬品事業

### 北京コンチネント薬業有限公司

#### 競合

Boehringer Ingelheim

#### 強み

- 中国初の特発性肺線維症薬
- 現地での人財確保と、医療機関ネットワークへのアクセス
- 中国国内における強力かつ、希少疾患専門のセールsteamが担う販売力
- 他の臓器における線維化疾患適応症拡大へのパイプライン
- 規制関連の熟知と経験



### Cullgen Inc.

#### 競合

Arvinas、Nurix、Kymera Therapeutics、C4 Therapeutics、Monte Rosa Therapeutics

#### 強み

- 世界トップクラスの研究開発陣営
- 米国と中国にまたがることによるコスト効率の高い開発と試験オペレーション
- 革新的かつ差別化された創薬プラットフォーム
- 多数の新しい候補薬を含むパイプライン
- 規制関連の熟知と経験



## 医療機器事業（生体材料）

### Berkeley Advanced Biomaterials LLC

#### 競合

Ventris Medical、Biologica Technologies、Biogennix、Access2Bone、PUR Biologics

#### 強み

- 長期かつ安定した事業実績
- 高品質なプレミアムブランド製品群
- 骨移植分野での確たる市場シェア
- 良好かつ安定した収益性



### 3. 成長戦略



## 当社グループの成長戦略



### 期的成長戦略

広範にわたる医薬品バリューチェーンにおいて、強力なパイプライン、継続的な研究開発、及び複数の収益基盤を持つ収益性の高いグローバルヘルスケア企業として引き続き事業をすることを目標としています。



### 期的成長戦略

医薬品に関わる全ての事業を統合したグローバルヘルスケア企業になることを目指しています。



## 各事業の成長戦略

### 医薬品事業

#### 北京コンチネント薬業有限公司（中国）

- 肺線維症適応薬アイスーリュイの販売体制を更に強化します。
- アイスーリュイの他の臓器への適応症拡大を進めます。
- 次世代の抗線維症治療薬としてF351などの新薬の開発をします。
- 少なくとも2つ以上の候補薬を後期臨床段階へ移行させます。
- 年平均成長率20%を目指します。

#### Cullgen Inc.（米国）

- 新規E3リガーゼの発見を通じたタンパク質分解技術をリードします。
- がんに対する新しい治療法を確立します。
- 優秀な研究開発チームを構築します。
- グローバル市場での展開に注力します。

### 医療機器事業（生体材料）

#### Berkeley Advanced Biomaterials LLC（米国）

- 市場における高品質という評判を維持します。
- 生体組織バンク（tissue bank）事業を拡大します。
- グローバル、特に中国での直販を拡大します。
- コスメティック領域の手術等における新たな商用活用を展開します。

#### 上海リーフ国際貿易、上海ジェノミクステクノロジー、Shanghai Hanyu Biotechnology、CellCarta、Recro

- 既存ビジネス間での相乗効果を生み出します。
- 経済価値を高めるための戦略的、選択的な投資事業を進めます。
- 確たる投資収益を追求します。

## 上市に向けた臨床試験計画

品目 - 適応症	開発	第1相	第2相	第3相	備考	
<b>アイスーリュイ - 中国</b>						
- 結合組織病関連間質性肺疾患(CTD-ILD)	自社				二適応症の第3相臨床試験中。計画通り進行中	
- 放射線性肺炎(RP)	自社				治験実施計画書を修正した第2試験を実施中	
- 糖尿病性腎症(DN)	自社				第1相臨床試験が計画通り進行中	
- じん肺症(PD)	自社					第3相臨床試験の準備中
<b>F351 - 中国・米国</b>						
- 肝線維症(中国)	自社					NMPAより第3相臨床試験について承認 第3相臨床試験のローンチ待ち
- 肝線維症(米国)	自社				KOL、アドバイザーと今後の進め方を相談中。FDAへの申請は 2022年12月期 第1四半期中を見込む	
<b>F573 - 中国</b>						
- 急性/慢性肝不全急性時(ACLF)	他社					第1相臨床試験計画書が仁安病院にて承認。プロトコルの変更を 行ったためHGRACに人類遺伝子情報の届け出を再提出し承認待

\* 上記の他、がん、慢性閉塞性肺疾患（COPD）並びに肺高血圧症治療薬を開発中

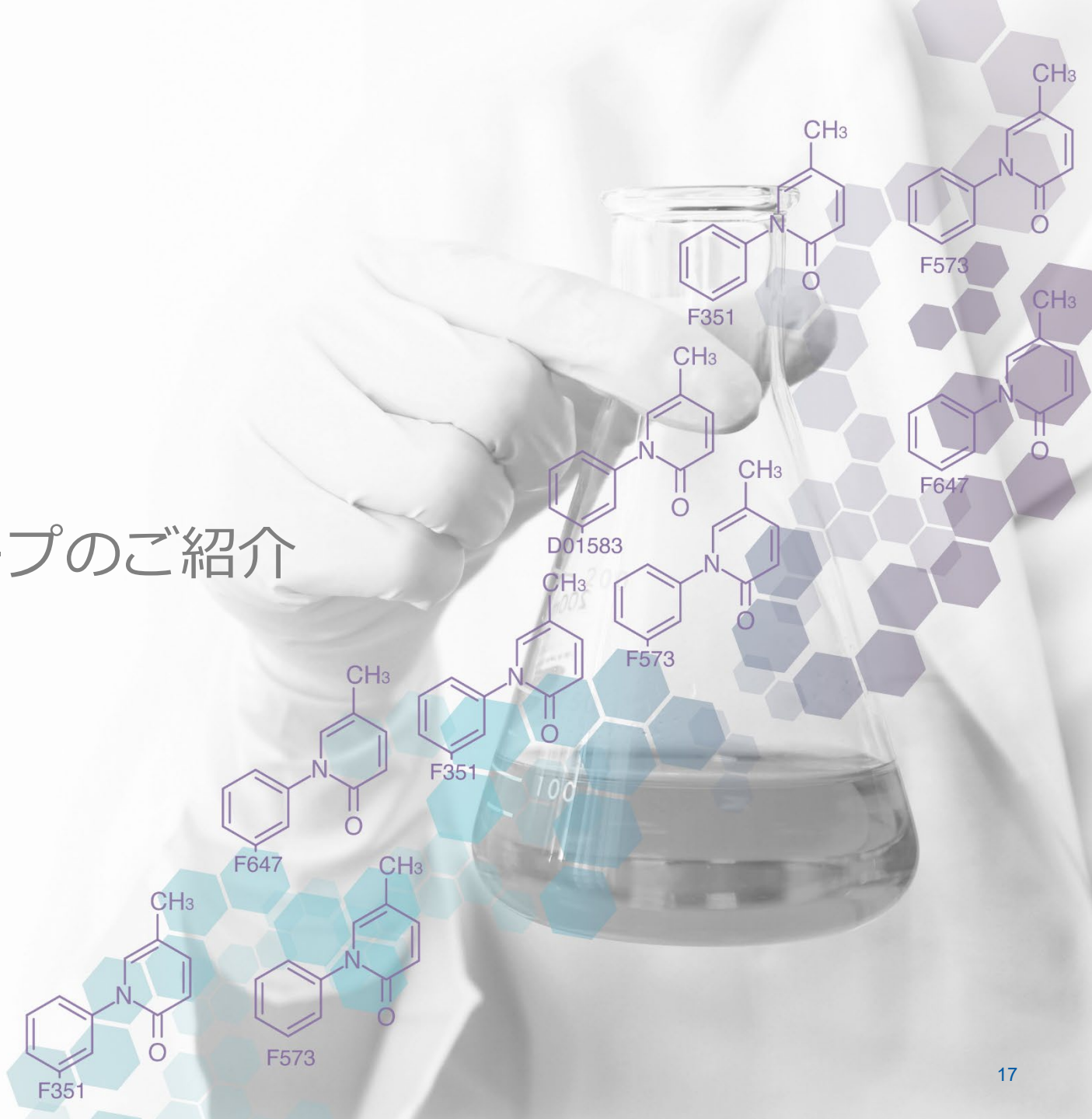
NMPA : 中国国家薬品监督管理局 (National Medical Products Administration)

FDA : アメリカ食品医薬品局 (Food and Drug Administration)

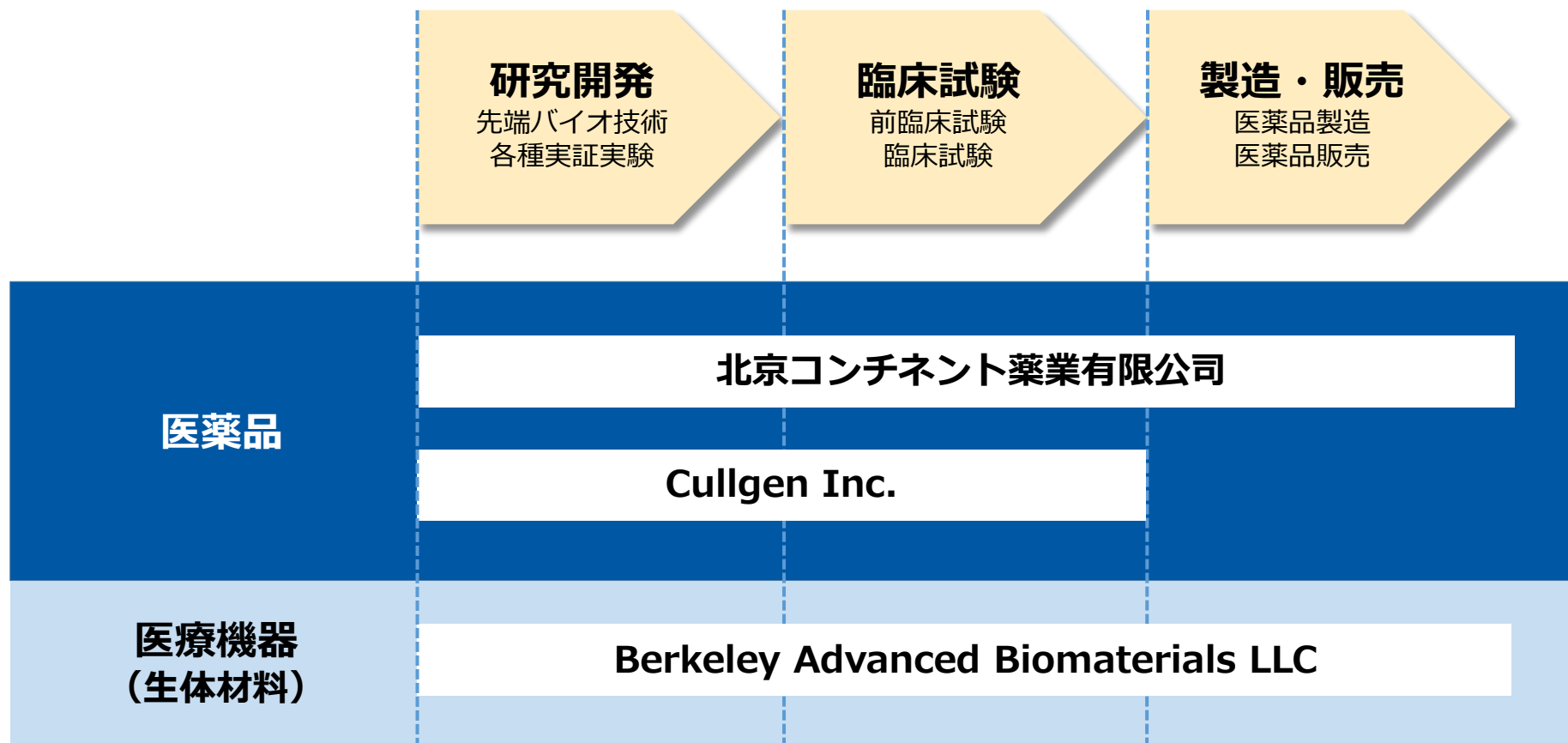
HGRAC : 中国人類遺伝資源管理弁公室 (Human Genetic Resources Regulation China)



## 4. 当社グループのご紹介



## 当社グループの医薬品バリューチェーン - 概要



## 北京コンチネント薬業有限公司の特徴

- ✓ 新薬候補物の探索から化合物探索、臨床試験、製造・販売と、医薬品事業のバリューチェーンを一貫してカバーしています。
- ✓ 特発性肺線維症治療薬アイスーリュイ（艾思瑞®）の製造・販売を通じたAPI / 医薬品製造体制を確立しました。またアイスーリュイの適応症を拡大するための臨床試験を推進します。
- ✓ 中国全土の販売・流通網を通じて、中国市場における線維化疾患のリーダーとしての地位を築きました。
- ✓ 独自の強みを持つ医薬品開発や製薬事業を行うバイオテクノロジー企業へ、自己資金より投資をします。
- ✓ 肝線維症治療薬としてのF351の開発と腎線維症治療薬としてのアイスーリュイの適用で、世界的に臓器線維症治療をリードします。
- ✓ 臓器の炎症・臓器不全を含めた注意深い候補薬の選択で、治療薬パイプラインを継続的に拡大します。



## Cullgen Inc. の特徴

- ✓ 最先端の研究に、中国のスピードとコスト優位性を組み合わせ、独自の標的タンパク質分解誘導技術uSMITE™（ユビキチン化を介した標的タンパク質分解誘導技術）によって創薬に革命を起こします。
- ✓ 米国と中国に、がん細胞生物学分野及びユビキチン・システムにおける一流の研究科学者陣を擁しています。
- ✓ 米国と中国にある研究施設において、新薬のパイプラインをコスト効率良く築いています。
- ✓ グローバルなベンチャーキャピタルと専門的なプライベートエクイティ投資家からの強力な財務面の支援とパートナーシップを得ています。



## Berkeley Advanced Biomaterials LLC の特徴

- ✓ 種々の自己移植や生体組織バンク向け骨及び軟組織用の生体材料製品（代替骨、人工骨、パテ等）を製造・販売しています。
- ✓ 独自の開発と製造ノウハウを自社で保有しています。
- ✓ 実績豊富な経営陣を擁しています。
- ✓ 直販と多国籍企業へのOEMを通じた市場浸透力を有します。
- ✓ スリムで効率的な組織体制を敷いています。
- ✓ 米国以外の市場に事業を拡大する潜在能力があります。



## バランスの取れた利益と研究開発投資の収益構造

1. 当社グループは、収益性の維持と重要な新薬開発とのバランスを達成しており、グローバルなバイオテクノロジーベンチャー企業の中では、数少ない存在です。
2. 主要子会社（北京コンチネント薬業、Berkeley Advanced Biomaterials、上海ジェノミクステクノロジー、上海リーフ国際貿易）は収益の増加もしくはは維持を達成しています。
3. Cullgenは次世代創薬技術への投資を継続しますが、その資金調達には当社グループ主導の下で、グローバルなベンチャーキャピタルやプライベートエクイティ投資家が参加しています。
4. 各子会社は、それぞれの経営陣のリーダーシップの下、それぞれに最適な事業計画を柔軟に進められるグループ体制になっています。
5. 強固なガバナンス体制の下に、各子会社は、それぞれの領域での事業拡大に向け、財務強化のための株式公開を独自に検討することが許されています。

## 5. 市場環境



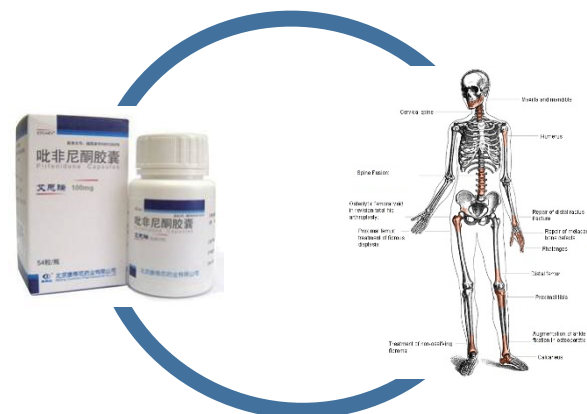
## 潜在市場

## 医薬品事業

- 北京コンチネント薬業は、肺、肝臓、腎臓疾患の線維症等を重点領域としています。これらの疾患には、中国において限られた治療オプションを持つ患者様が7,600万人おり、250億人民元の市場規模です。  
(出典：Frost & Sullivan)
- 世界における肝線維症市場は2021年だけでUS130億ドルで、2026年までにUS220億ドルに成長すると予測されています。  
(出典：Market Data Forecast)
- Cullgenの基盤となる技術と医薬品開発プラットフォーム(uSMITE™)を適用できるがんの世界市場の規模は、2027年までにUS3,940億ドルに達する見込みです。  
(出典：Fortune Business Insights)

## 医療機器事業（生体材料）

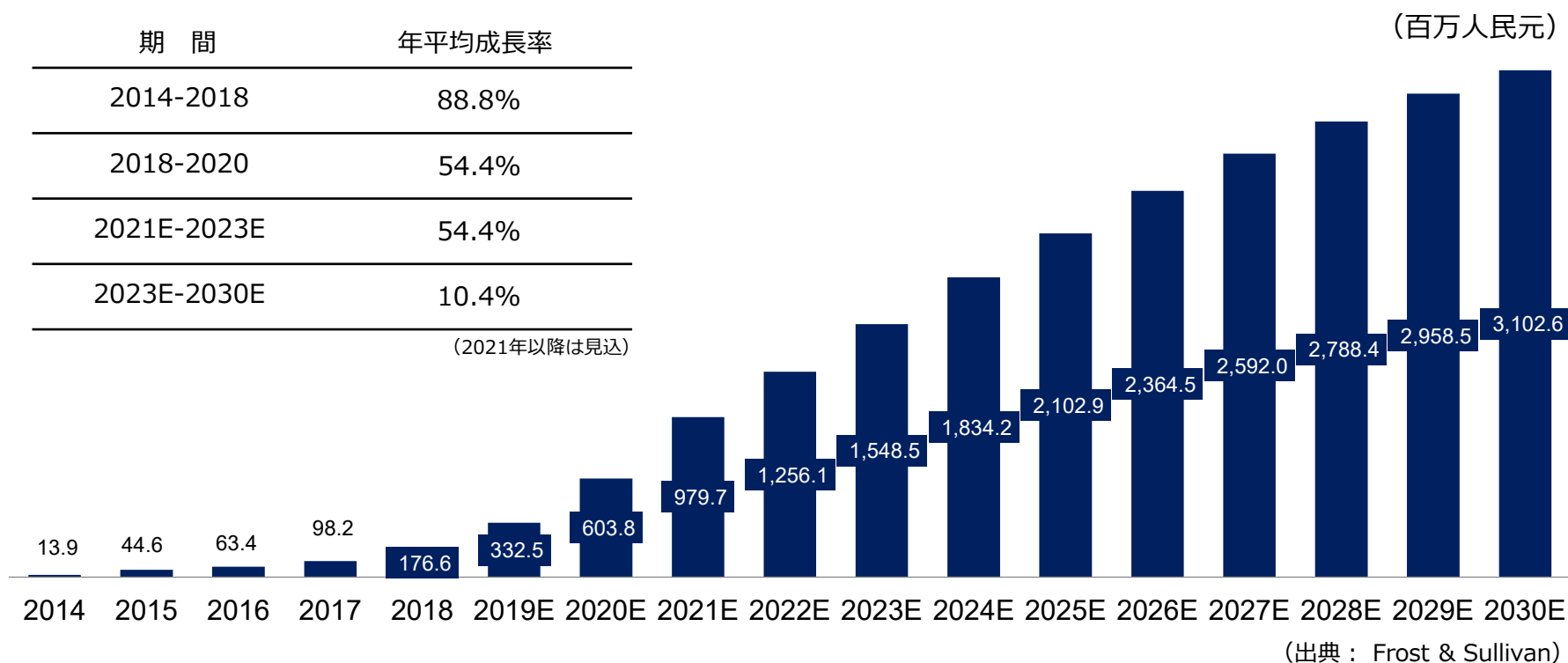
- 米国のBerkeley Advanced Biomaterialsが事業を展開する世界における生体材料市場規模は、US17億ドルとされています。  
(出典：iData Research)





## アイスーリュイの市場規模：中国の特発性肺線維症薬市場

- ✓ 特発性肺線維症薬の市場は、2023年までに15億人民元、年平均成長率は54.4%まで成長し続けると予想されています。
- ✓ 北京コンチネント薬業のアイスーリュイ（一般名：ピルフェニドン）は、早期に市場展開し医療関係者の信頼を獲得し、市場をリードしています。



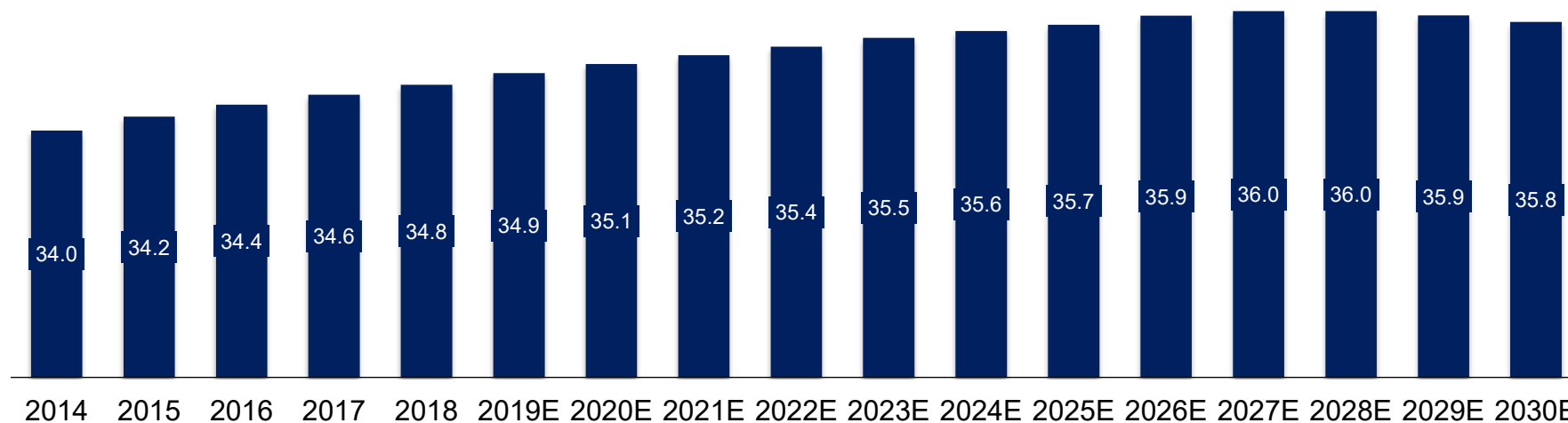
## F351の潜在市場規模：中国の肝線維症の患者数

北京コンチネント薬業のF351の適応症である肝線維症を発症した慢性のHCV患者数は、2014年に3,400万人に達し、2027年までに3,600万人以上に増加すると予想されています。

期 間	年平均成長率
2014-2018	0.5%
2018-2023E	0.4%
2023E-2030E	0.1%

(2021年以降は見込)

(百万人)



(出典：Frost & Sullivan)

## 6. 事業計画



## 2021年12月期 業績見通し

(百万円)	FY2020 (実績)	FY2021 (暫定)	対前年同期 増減率
<b>売上収益</b>	<b>9,773</b>	<b>12,617</b>	29.1%
<b>売上総利益</b>	<b>8,227</b>	<b>10,985</b>	33.5%
販売費及び一般管理費	5,180	7,494	44.7%
研究開発費	1,243	1,980	59.3%
<b>営業利益</b>	<b>1,869</b>	<b>1,852</b>	△0.9%
金融収益	46	89	94.3%
金融費用	109	624	469.7%
<b>税引前利益</b>	<b>1,805</b>	<b>1,316</b>	△27.1%
法人所得税費用	440	804	82.9%
<b>当期利益</b>	<b>1,365</b>	<b>511</b>	△62.5%
<b>親会社の所有者に帰属する当期利益</b>	<b>1,258</b>	<b>1,260</b>	0.2%

### 前提条件

- ✓ 売上収益
  - 北京コンチネント薬業とBerkeley Advanced Biomaterialsはこれまで通りの好調な売上トレンドを引き続き達成する。
- ✓ 販売費及び一般管理費
  - 予定通り、北京コンチネント薬業が営業体制を、Cullgenが研究体制を強化する。
- ✓ 研究開発費
  - 北京コンチネント薬業が研究開発費を増加し、Cullgenが新薬臨床試験の申請準備を開始する。
- ✓ 金融費用
  - IFRS基準の下で支払利息として扱われる現金支出を伴わない配当金が発生する。

### 成長のための資本

当社は2021年11月末時点で約137億円という十分な資金を有しております。加えて、2021年2月に新株予約権（発行済み株式数の約9%に相当）を発行しました。これらの資金は、研究開発や戦略的な投資に使用する予定です。

## 業績の推移

(百万円)

	売上収益	営業利益 (損失)	税引前利益 (損失)	当期利益 (損失)	親会社の所有者に帰属 する当期利益 (損失)
2021年度 (暫定)	12,617	1,852	1,316	511	1,260
2020年度 (実績)	9,773	1,869	1,805	1,365	1,258
2019年度 (実績)	7,446	1,302	1,197	629	181
2018年度 (実績)	5,018	568	364	192	△200
2017年度 (実績)	2,648	154	137	28	△175
2016年度 (実績)	1,306	△276	△385	△465	△513

## 7. リスク情報



## 事業計画におけるリスク情報について (1/2)

項目	リスク	対応策
<p>医薬品の開発</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 新規化合物が承認を得られる保証はない</li> <li>■ 必要な臨床試験データの内容が臨床開発期間中に変更、申請対象国によって異なる可能性</li> </ul> <p>◎ 顕在化の可能性：中 ◎ 顕在化の時期：中長期 ◎ 影響度：大</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 関連する機関のモニタリング、規制変更の早期察知</li> <li>■ 規制変更時の対応方法を事前検討</li> </ul>
<p>グローバルな事業展開</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 国際的なサプライ・チェーンの乱れ等により、医薬品の製造、流通、販売、医療行為に制約が加えられる可能性</li> </ul> <p>◎ 顕在化の可能性：中 ◎ 顕在化の時期：中長期 ◎ 影響度：大</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 地域間での協業と並行し、事業活動が各地域内でも完結できるように業務を運営</li> </ul>
<p>競合</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 競合他社に劣後した結果、売上収益の減少、販売価格の低迷及びシェアの低下等が起こり、経営成績と利益率に影響を及ぼす可能性</li> </ul> <p>◎ 顕在化の可能性：中 ◎ 顕在化の時期：中長期 ◎ 影響度：中</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 既存製品の改良及び新規性がありかつ価格競争力のある製品を開発</li> </ul>

## 事業計画におけるリスク情報について (2/2)

項目	リスク	対応策
法的規制	<p>■ 医薬品の研究開発活動を行う各国の薬事行政による様々な規制の存在</p> <p>◎ 顕在化の可能性：低 ◎ 顕在化の時期：不明 ◎ 影響度：大</p>	<p>■ 関連する機関のモニタリング、規制変更の早期察知</p> <p>■ 規制変更時の対応方法を事前検討</p>
自然災害、テロ、戦争等	<p>■ 自然災害、テロ、戦争等により、システム障害等が発生することに伴う業務の進捗が困難になる可能性</p> <p>◎ 顕在化の可能性：低 ◎ 顕在化の時期：不明 ◎ 影響度：大</p>	<p>■ 外部ベンダーへのバックアップ委託を行いシステム障害の対応方法策定</p>
新型コロナウイルス感染症の影響	<p>■ 新型コロナウイルス感染症の流行長期化により、臨床試験の進捗、病院の状況による売上収益に影響する可能性</p> <p>◎ 顕在化の可能性：中 ◎ 顕在化の時期：短中期 ◎ 影響度：大</p>	<p>■ 事業形態や方法を変えることで、新型コロナウイルス感染症拡大の影響を最小限にする方法をとる</p>



## 本資料の取り扱いについて

- 本資料に記載されている当社の現在の計画、見通し、戦略などのうち、歴史的事実でないものは、将来の業績に関する見通しです。
- 将来の業績に関する見通しにつきましては、現時点で入手可能な情報から得られた当社経営者の判断に基づいています。実際の業績は、さまざまなリスクや不確実な要素により、これら業績見通しとは大きく異なる結果となりうるため、これら業績見通しに依拠して投資判断を決定することはお控え下さいますよう、お願いいたします。
- 実際の業績に影響を与える重要な要素には、当社グループの事業領域を取り巻く経済情勢、市場の動向、世界情勢などが含まれます。
- 次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は2022年3月を予定しております。但し、当社の経営方針に重要な変更があった場合には、別途開示することがあります。

## お問い合わせ先

[infojapan@gnipharma.com](mailto:infojapan@gnipharma.com)