

Veritas In Silico

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs

2023年12月期（第8期） 決算説明会

株式会社Veritas In Silico

東京証券取引所グロース市場：130A

2024年2月28日



免責事項

本資料は、株式会社Veritas In Silico(以下「当社」といいます。)の会社情報の説明のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国その他の一切の法域における有価証券の買付け又は売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。日本国、米国その他の法域において、適用法令に基づく登録若しくは届出又はこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集又は販売を行うことはできません。

本資料の作成にあたり、当社は当社がその作成時点において入手可能な情報の真実性、正確性及び完全性に依拠し、かつ前提としており、将来情報、外部データ等については、その真実性、正確性及び完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。

将来の事業内容や業績等に関して本資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。将来予想に関する記述には、「目指す」、「予測する」、「想定する」、「確信する」、「継続する」、「試みる」、「見積もる」、「予期する」、「施策」、「意図する」、「企図する」、「可能性がある」、「計画」、「潜在的な」、「蓋然性」、「企画」、「リスク」、「追求する」、「はずである」、「努力する」、「目標とする」、「予定である」又は将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他の類似した表現を含みます。将来予想に関する記述は、本資料作成時点において入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいて作成しており、これらの記述の中には、様々なリスクや不確定要素が内在します。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の将来における事業内容や業績等が、将来に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なることとなる可能性があります。したがって、将来予想に関する記述に依拠することのないようご注意ください。

Contents

- 1 財務ハイライト
- 2 事業概要
- 3 ビジネスモデル
- 4 事業ハイライト
- 5 事業進捗
- 6 成長戦略



1 財務ハイライト

Financial Highlights

2023年12月期の財務ハイライトおよび2024年12月期の業績予想

事業収益は360百万円(2022年12月期は178百万円)

2023年6月武田薬品工業との共同創薬研究契約の締結に伴う契約一時金および研究支援金の取得、2023年12月ラクオリア創薬との共同創薬研究におけるマイルストーン達成等により事業収益は右肩あがり

当期純利益は33百万円(2022年12月期は141百万円の当期純損失)

プラットフォーム型ビジネスにより固定費、変動費は2021年～2023年までほぼ一定一方、近年の大型契約締結による事業収益の増大により2023年12月期に黒字達成

現金及び現金同等物は1,549百万円(2022年度末に比べ64百万円増加)

主に税引前純利益35百万円および減価償却費26百万千円の計上等による増加

2024年12月期は黒字拡大予想

2024年12月期は、共同創薬研究におけるマイルストーン達成および2件の新規契約獲得等で事業収益は676百万円予想人件費および研究開発費用の増加で事業費用は一段階上がるが、2023年12月期より黒字は拡大する見込み

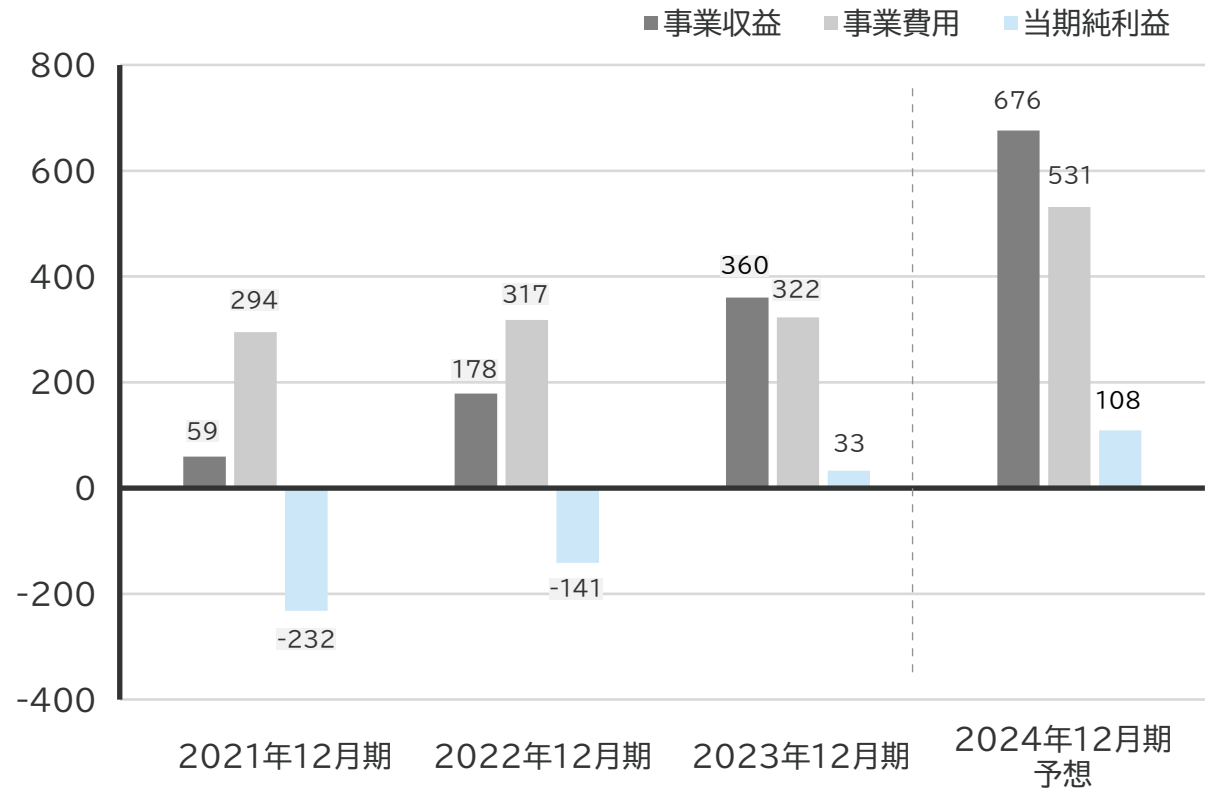
2023年12月期に黒字達成、2024年12月期は黒字拡大を目指す

近年の大型契約締結による事業収益の増加により、2023年12月期は黒字化達成。2024年からの中期経営計画期間は、人員の増強による固定費と自社パイプライン創出に向けた研究費の増大を見込んでいるが、プラットフォーム事業における提携先の拡大等により2024年以降も黒字の継続・拡大を目指す

損益計算書 (百万円)

	2023/12期	2024/12期 予想
事業収益	360	676
事業費用	322	531
営業利益	37	144
営業外損益	△1	△16
経常利益	35	128
特別損益	-	-
税引前当期純利益	35	128
法人税等	2	19
税引後当期純利益	33	108

各期の事業収益・事業費用・当期純利益 (百万円)



(注) 2023年12月期ベースの事業費用の内訳 ①研究開発費が136百万円 ②販管費が186百万円
 ① 研究開発費用のうち固定費(人件費、地代家賃、減価償却費等)は99百万円である
 ② 販管費のうち同固定費は124百万円であり、事業費用全体の約2/3は固定費で構成される

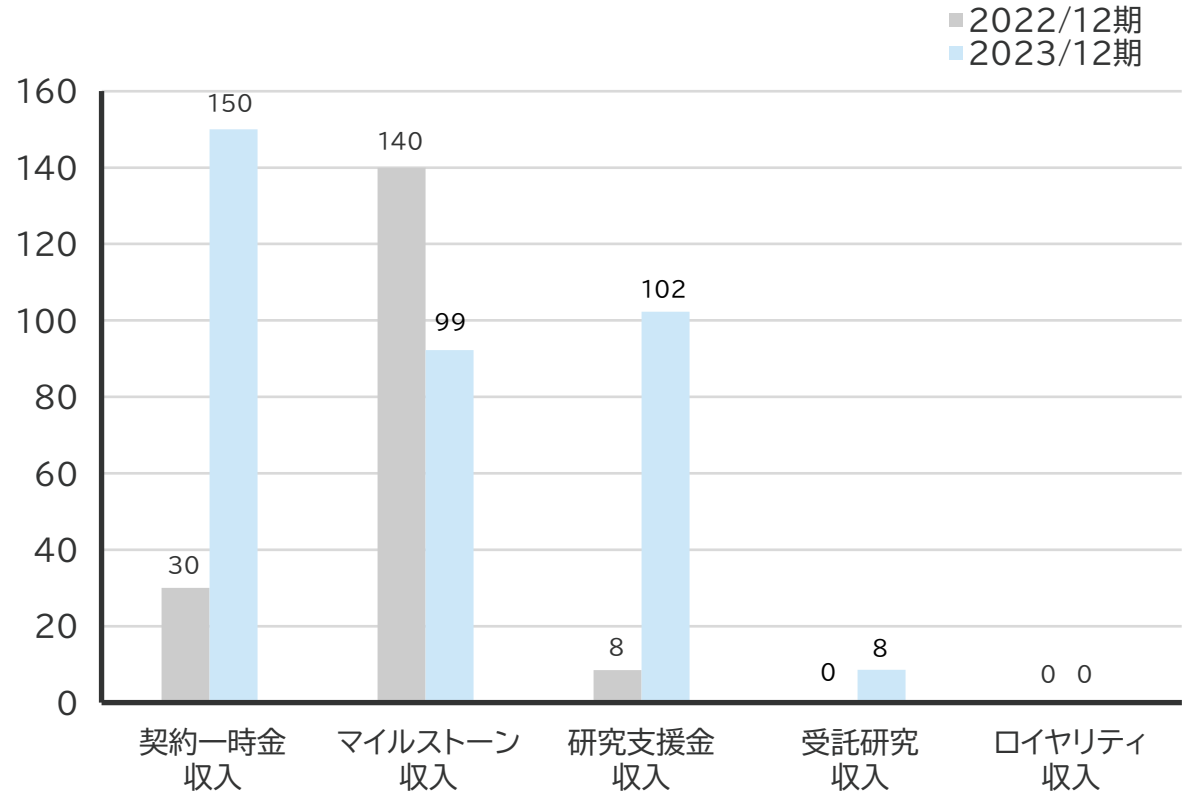
収益の安定化に寄与する研究支援金の拡大に成功

2023年12月期は武田薬品工業との契約締結により過去最高の契約一時金を獲得
 毎年得られる研究支援金の拡大にも成功、引き続き研究支援金を拡大することで収益の安定化を図る

事業収益の内訳 (百万円)

	2022/12期	2023/12期
顧客との契約から生じる収益	178	360
契約一時金収入	30	150
マイルストーン収入	140	99
研究支援金収入	8	102
受託研究収入	—	8
ロイヤリティ収入	—	—
その他の収益	0	0
外部顧客への売上高	178	360

顧客との契約から生じる収益の内訳 (百万円)



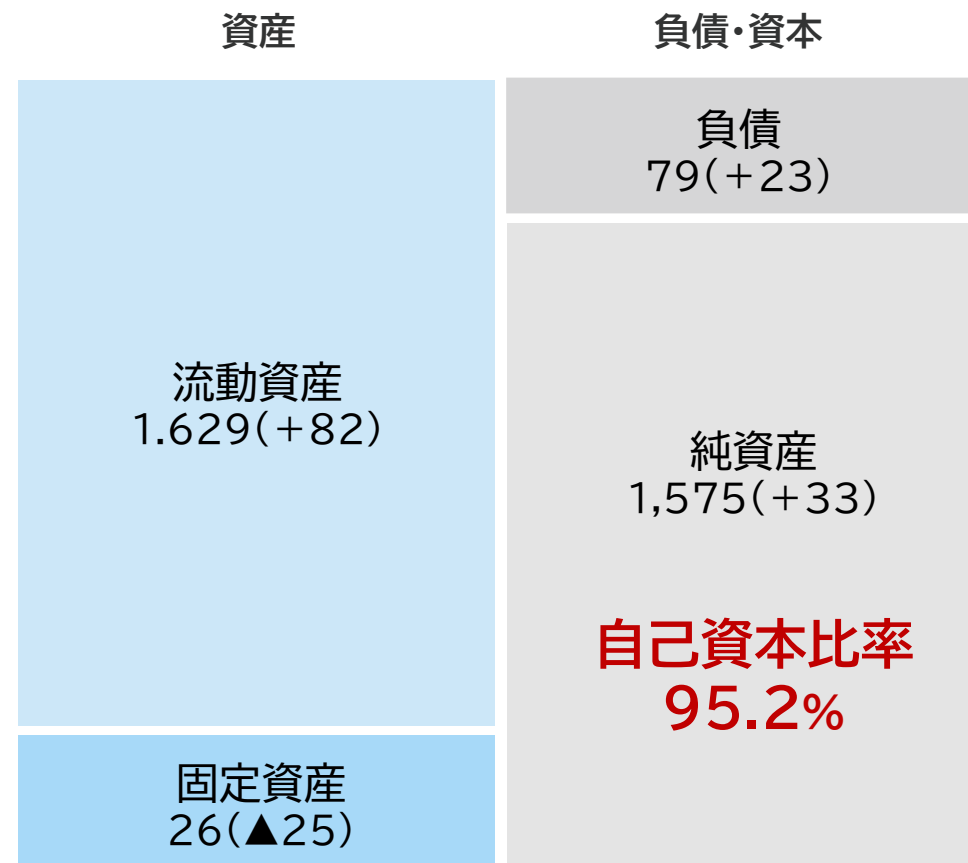
財務状況（2022年12月期および2023年12月期）

十分な現預金を保有し、高い自己資本比率を維持

貸借対照表（百万円）

	2022/12期	2023/12期
現金及び預金	1,484	1,549
流動資産合計	1,547	1,629
有形固定資産	47	23
固定資産合計	51	26
資産合計	1,598	1,655
負債合計	55	79
資本金	90	90
純資産合計	1,542	1,575
負債純資産合計	1,598	1,655

2023年12月期末の財政状況



(百万円)



2 事業概要

Business Overview

会社概要

mRNA標的低分子創薬に取り組む プラットフォーム型のバイオテック企業

会社名	株式会社Veritas In Silico (VIS)
設立	2016年11月17日
本社	東京都品川区西五反田一丁目11番1号
事業所	基礎研究部門:神奈川県川崎市 応用研究部門:新潟県新潟市
代表者	代表取締役社長 中村 慎吾
従業員数	15名 (2023年12月末現在)
資本金	458,000千円 (2024年2月8日現在)
事業内容	独自の創薬プラットフォーム ibVIS® により、 製薬会社と共同創薬研究を通じて、 mRNA標的的低分子医薬品の創出に取り組む



基礎研究部門

(かわさき新産業創造センター内)



応用研究部門

(新潟薬科大学内)

沿革

設立以降、実績を積み上げて着実にmRNA標的的低分子事業を拡大

事業会社からの支援のもと、特徴ある研究・創薬パートナーと共にmRNA標的的低分子創薬を推進



研究・創薬
パートナー



(注) 現在、東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品の4社と共同創薬研究を実施中

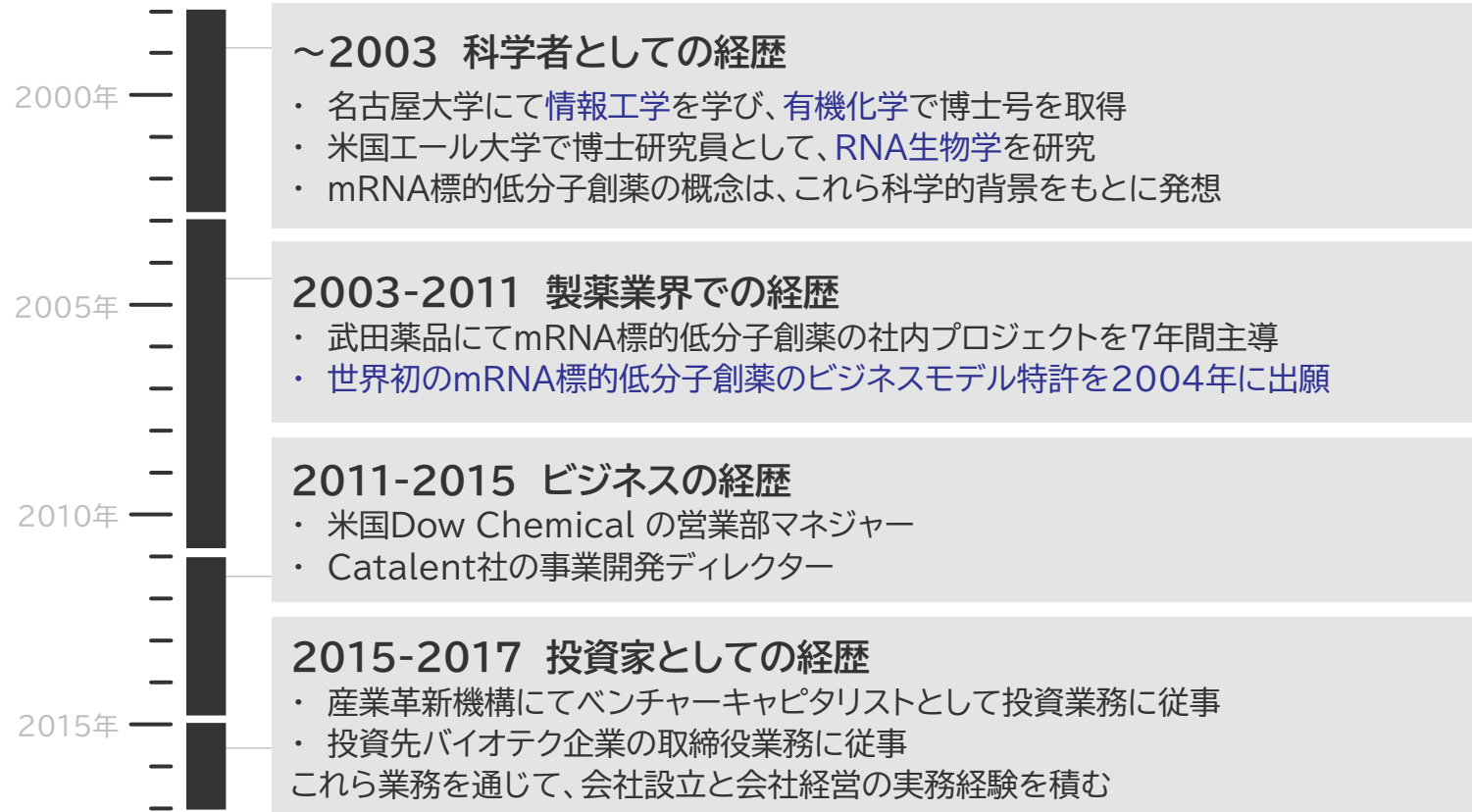
当社創立者の発想を現実化させたmRNA標的的低分子創薬

当社の代表取締役であり創立者の中村は、mRNA標的的低分子創薬を約20年前に発想した
それ以降、中村はこの概念を実現するパスファインダーとなるべく、様々な実務経験を積んだ



代表取締役社長
中村 慎吾 PhD

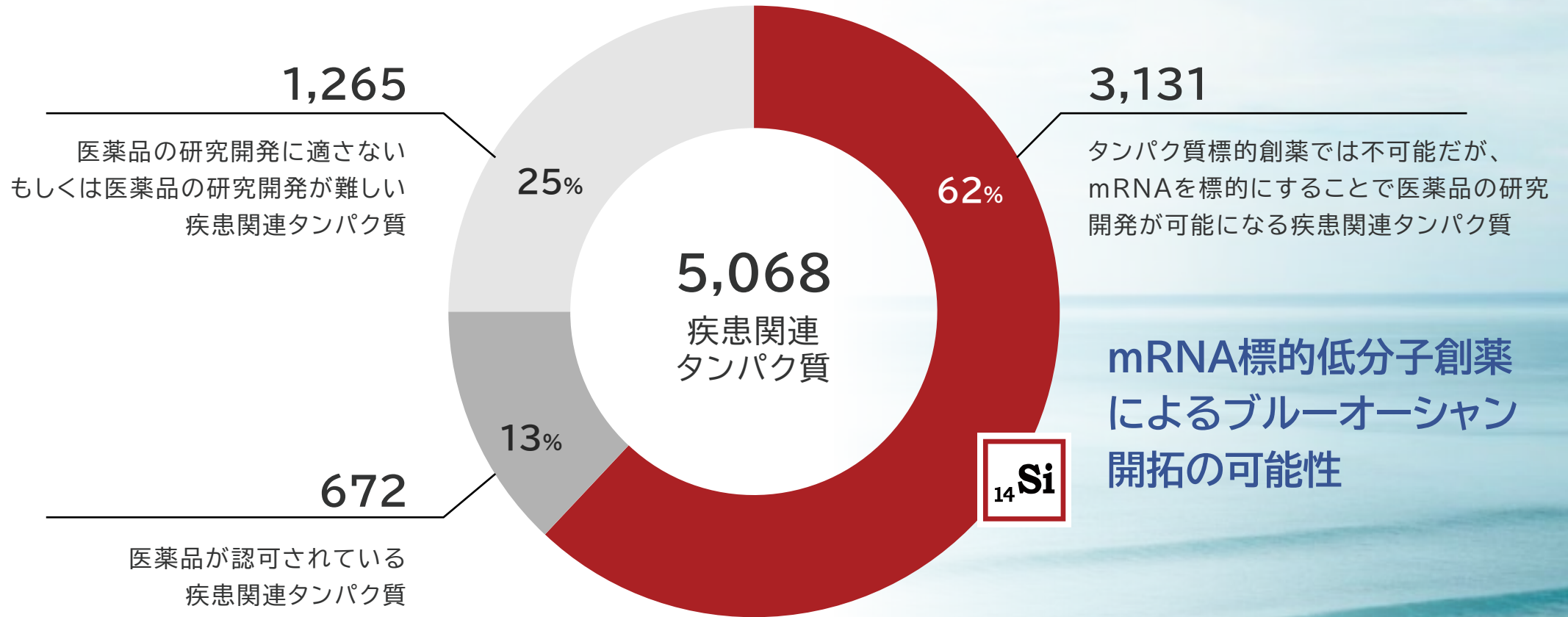
創薬研究から事業開発、営業、
企業経営、バイオテック企業への投資に
至るまで幅広い実務経験を有する



(注) 米国・ニュージャージー州に本社を置き、製薬会社及びバイオテック企業向けにデリバリー技術、医薬品製造、生物製剤、遺伝子治療薬、消費者向け健康製品を提供するグローバル医薬品受託製造会社(CDMO)

治療“できない”を“できる”にするmRNA標的 low molecule創薬

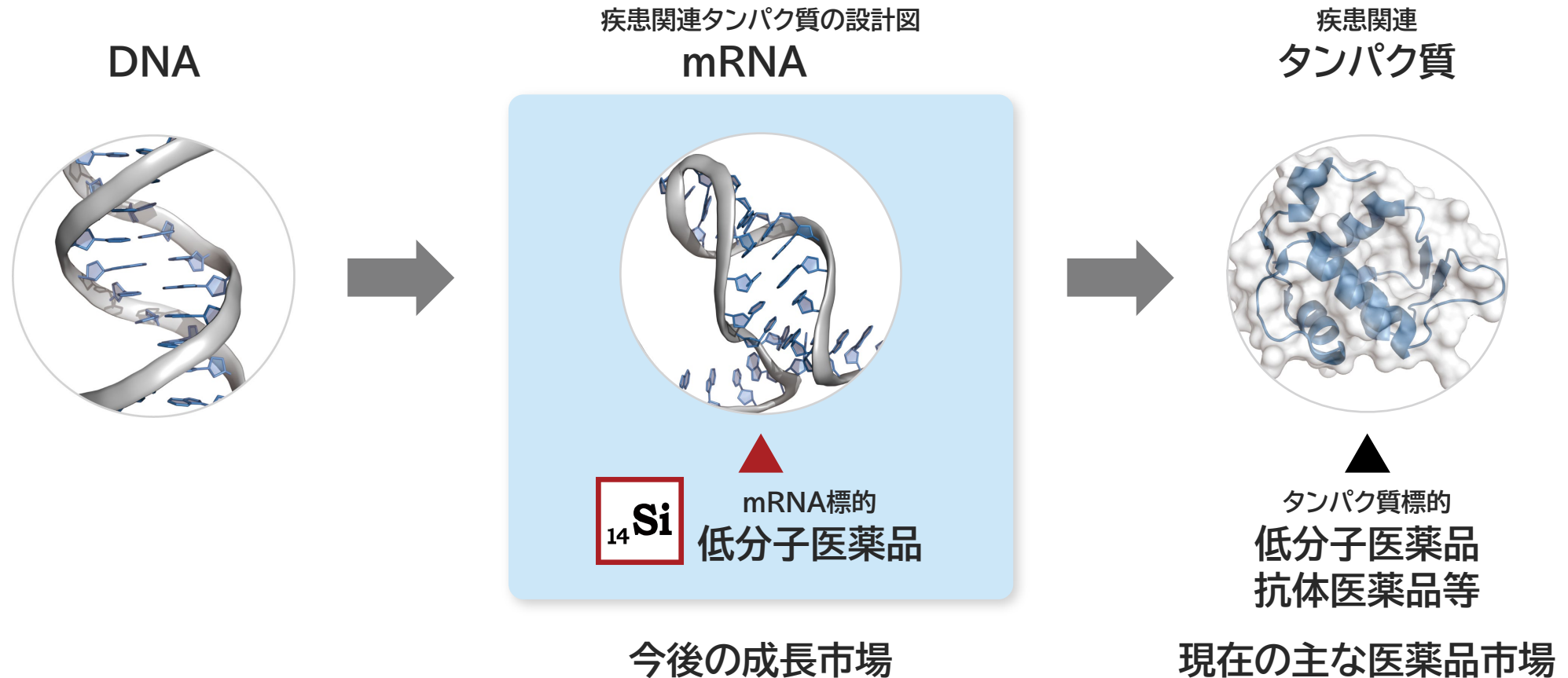
従来のタンパク質を創薬標的とした創薬技術では“Undruggable(創薬不可能)”な疾患もmRNAを創薬標的とすることで“Druggable(創薬可能)”に新しい創薬アプローチであるmRNA標的 low molecule創薬により、疾患関連タンパク質において大きな割合を占めるブルーオーシャンを開拓できる可能性がある



出典: The Human Protein Atlas, DrugBank, KS analysis, 2018 をもとに当社にて作成

ブルーオーシャンでmRNAを標的とした低分子医薬品を創出

当社は、タンパク質の設計図であるmRNAを創薬標的として、経口投与が可能で医療経済的に望まれている低分子医薬品の創出を目指す
現時点において本創薬で上市された低分子医薬品はないが、ブルーオーシャンで低分子創薬に取り組めることから将来的な市場の成長が期待できる

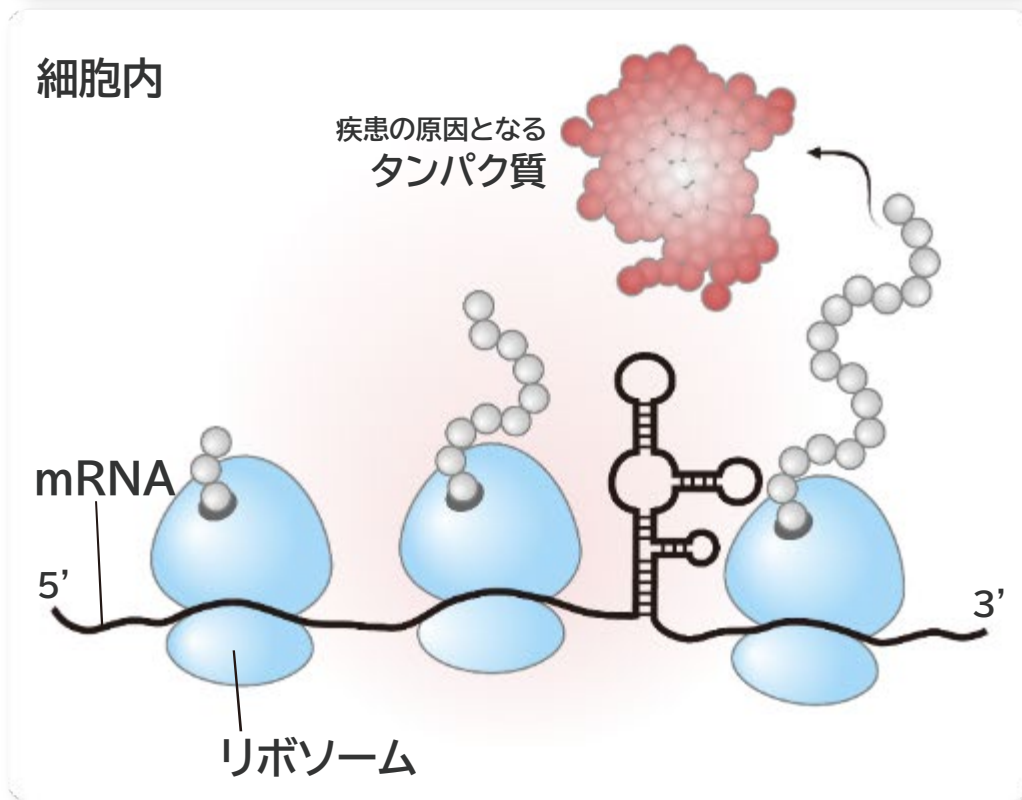


(注) mRNA標的の低分子医薬品の研究開発は世界的に見てもほとんどが研究段階であり、本創薬で上市された低分子医薬品はありません(2023年12月末現在)

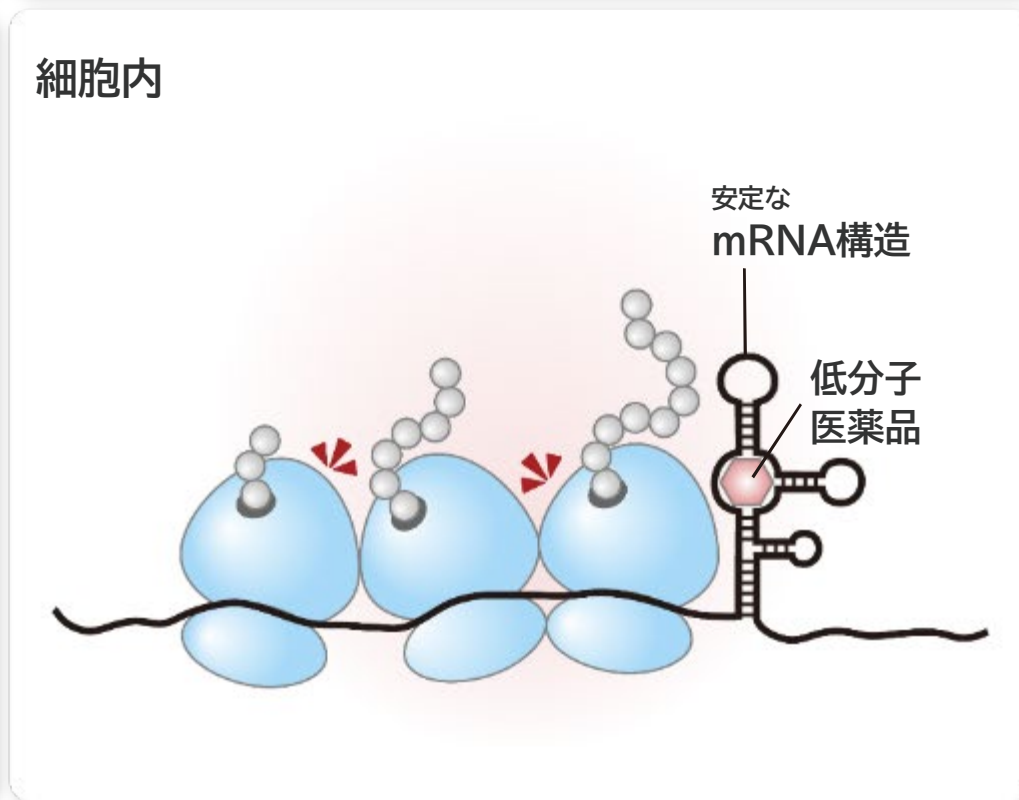
さまざまな疾患の治療に適用できる汎用性のある作用メカニズム

細胞内では、タンパク質の設計図であるmRNAの情報をリボソームが左から右(下図)に読み取ることでタンパク質が合成される
低分子医薬品によりmRNA上の構造が安定化されると、リボソームはmRNAの情報を読み進めることができなくなりタンパク質の合成はストップする

低分子医薬品なし



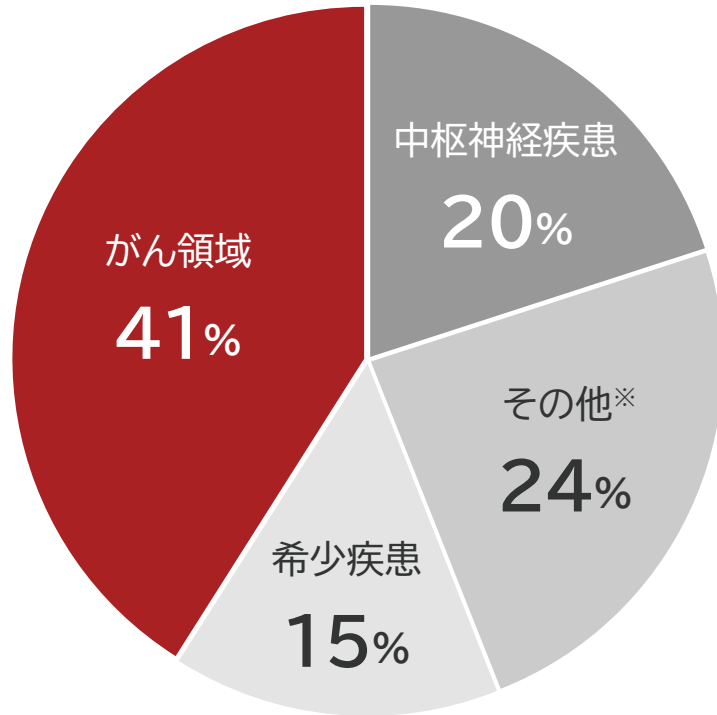
低分子医薬品あり



ibVIS[®]で未だ満たされない医療ニーズに応える

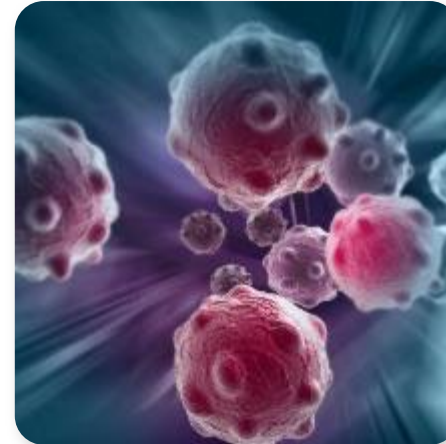
当社の創薬プラットフォームibVIS[®]を紹介した製薬会社から開示された創薬対象遺伝子(GOI)は100以上で、疾患領域は多種多様である。創薬の専門家から見ても、ibVIS[®]は様々な疾患に適用可能であることを示唆している。特にがん領域は突出しており、中枢神経疾患がそれに続く

GOIからわかる疾患領域(注)



※ 循環器疾患、免疫疾患、感染症などを含む

(注) 2023年12月末現在において製薬会社から開示されたGOIに基づき当社にて作成



がん領域

がんはメカニズムが多様であり、従来創薬では治療できないがんが多く存在する。患者数が多いため、大量供給可能な低分子新薬の開発が望まれる



中枢神経疾患

脳(中枢神経)の血液脳関門(BBB)は神経細胞に影響のある物質をブロックする保護システム。中枢神経疾患の治療にはBBBを通過する低分子医薬品が有効

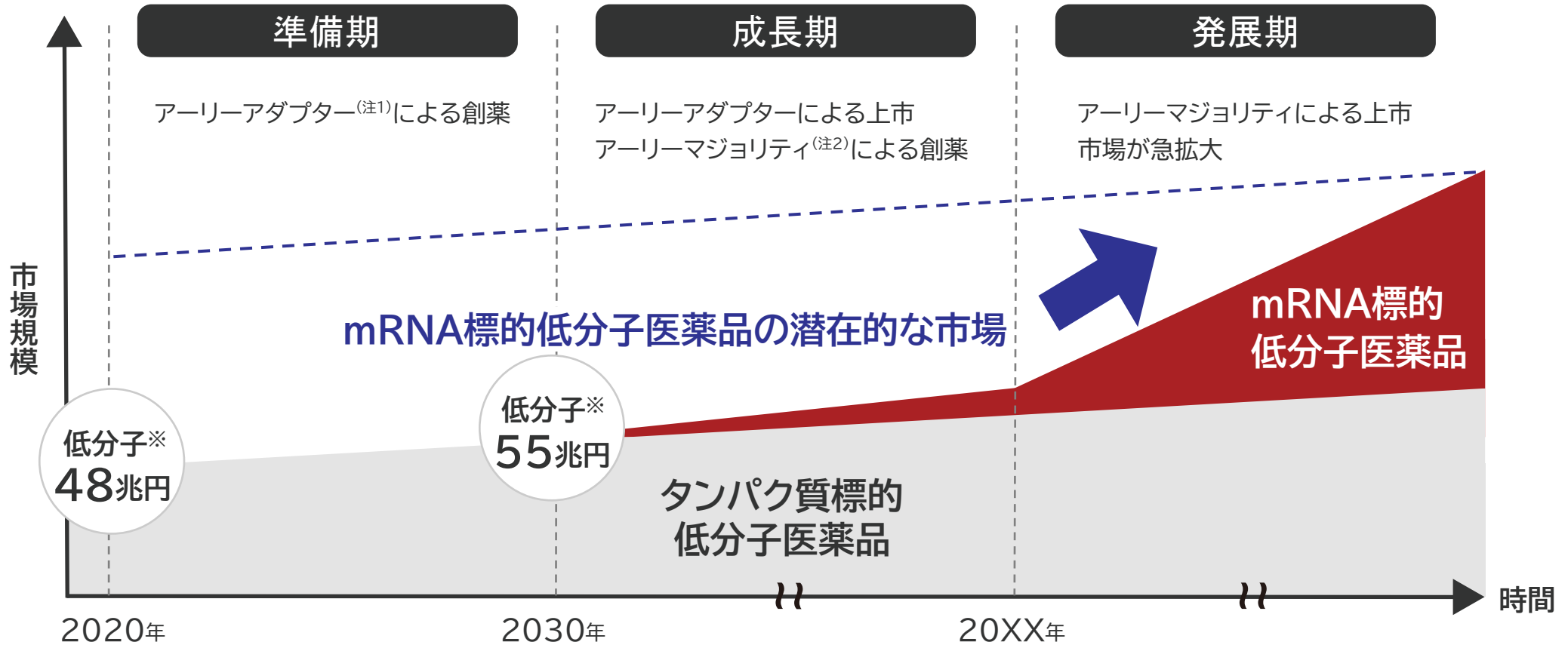


3 ビジネスモデル

Business Model

タンパク質標的に匹敵するmRNA標的 low 分子医薬品の潜在市場

mRNA標的 low 分子創薬は現在**準備期**。当該創薬により low 分子医薬品が市場に出れば、“Undruggable”だった疾患に対して研究開発が一気に広まるため**(成長期)**、mRNA標的 low 分子医薬品の市場は、将来的にタンパク質標的 low 分子医薬品に匹敵する大きな医薬品市場となる**ことが期待できる(発展期)**



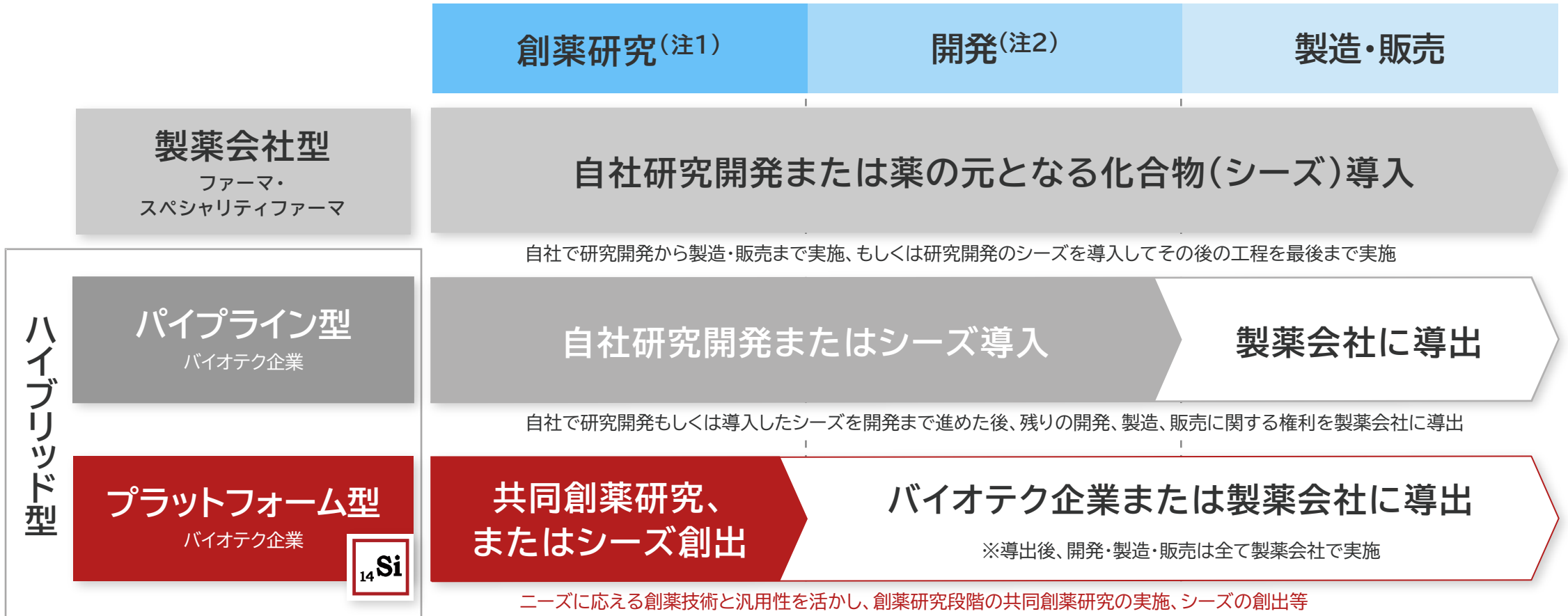
(注1) 初期採用者とも呼ばれ、イノベーター(革新者)の次に商品やサービスを購入する人々
(注2) 前期追随者とも呼ばれ、アーリーアダプターからの影響を受ける人々

出典: 当社推定

低分子医薬品の市場規模(※)は、内閣官房 健康・医療戦略室委託事業「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」より抜粋

技術力を活かしたプラットフォーム型ビジネスに注力

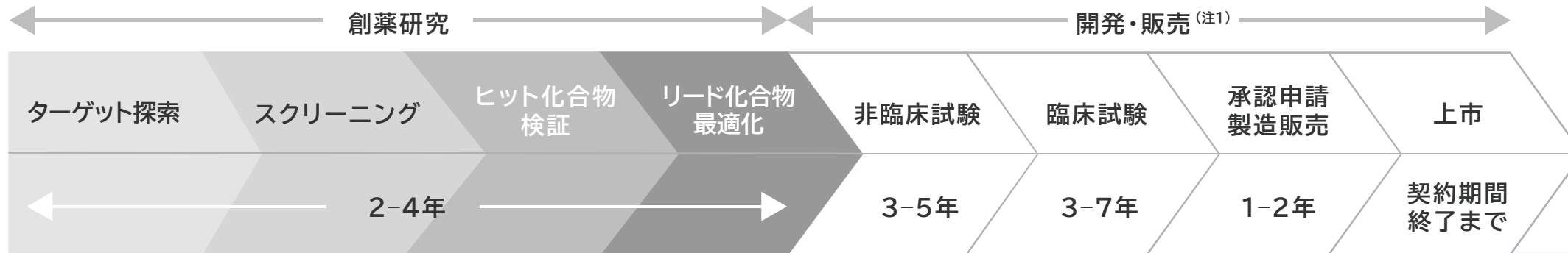
当社は幅広いニーズに応えるmRNA標的的低分子創薬の技術力を武器として、プラットフォーム型ビジネス(独自の基盤技術を、共同創薬研究等を通じて複数の製薬会社へ提供)に注力している。製薬会社との共同創薬研究を通じて、mRNA標的的低分子創薬の潜在的な市場のシェアをいち早く獲得する



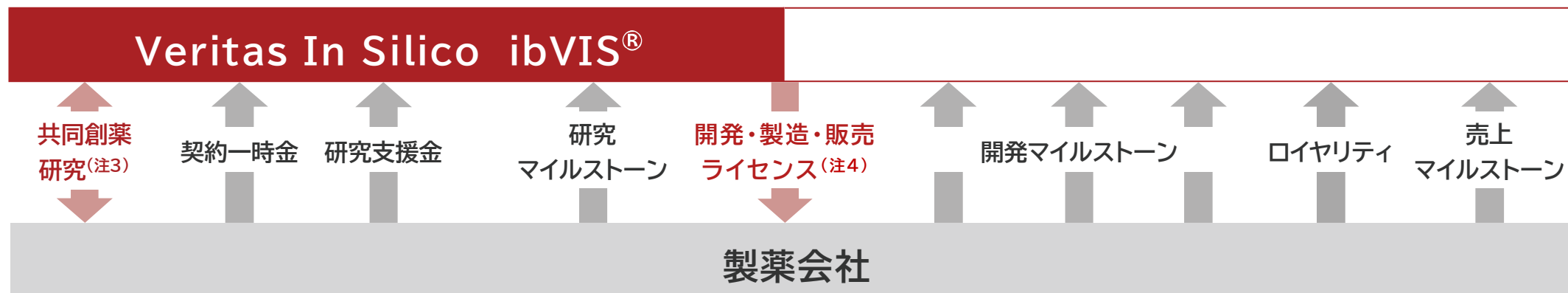
(注1) 創薬研究は、医薬品として十分な効果・安全性等を示す医薬品候補化合物を創出するまでの段階
(注2) 開発は、創薬研究で取得した医薬品候補化合物の効果・安全性等を規制当局に証明していく段階

創薬研究の初期から長期にわたり安定した事業収益を実現

当社と製薬会社との共同創薬研究契約では、当社の創薬プラットフォームibVIS®の使用に対して創薬研究の初期から事業収益が得られる開発・製造・販売権のライセンス以降も、創薬研究における当社の貢献に応じて収益が得られるプラットフォーム型の契約を締結している



研究開始から製品が市場に出るまで約10年^(注2)




契約一時金	契約締結時に一時金として受け取る事業収益
研究支援金	研究実施等に対する対価として創薬標のごとに受け取る事業収益
マイルストーン	研究・開発・売上の進捗に応じて、事前に設定したイベントを達成した際に受け取る事業収益
ロイヤリティ	医薬品販売開始後に年間の売上高に応じて受け取る事業収益

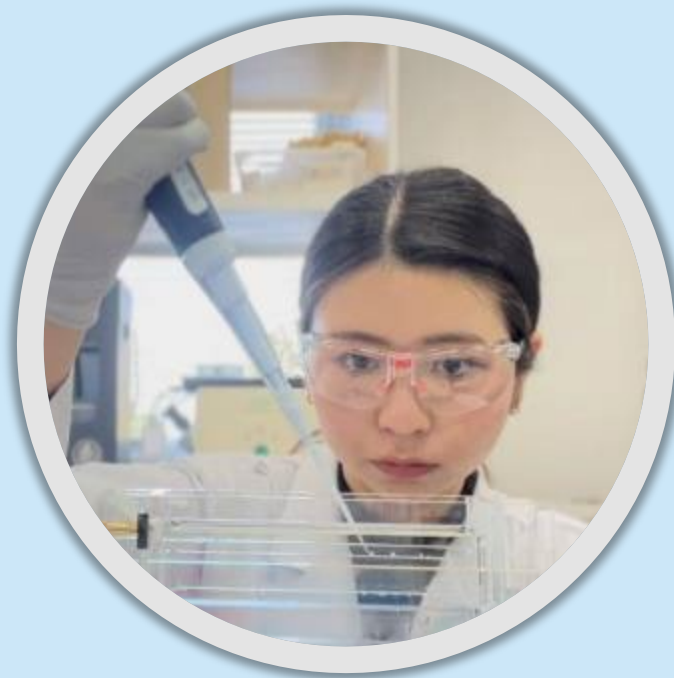
(注1) 現時点(2023年12月末現在)、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績はありません
 (注2) 上市までの期間については、実際の研究開発状況により大きく異なる可能性があります
 (注3) ibVIS®を使用した当社と製薬会社の協業は、創薬研究期間中に限られます
 (注4) 開発・製造・販売ライセンスに関する取り決めについては、共同創薬研究契約に盛り込まれる場合があります

mRNA標的 low molecular weight 創薬の日本初プラットフォームとして上場

mRNA標的 low molecular weight 創薬でプラットフォーム型ビジネスを実現する当社の技術力により、今後より多くの製薬会社との共同創薬研究を実施できる可能性がある数々の製薬会社との契約を実現してきたそーせい、ペプチドリーム2社に、契約数や時価総額で並び超えて行けるようなバイオテック企業を目指す

国内創薬プラットフォーム 会社名	上場時期	上場時時価総額	時価総額 2024年1月31日時点	主な 創薬標的・医薬品
 Veritas In Silico	2024年2月	126億円	—	mRNA標的/ 低分子医薬
ペプチドリーム 【4587】	2013年6月	322億円	1,695億円	タンパク質標的/ ペプチド医薬
そーせい 【4563】	2004年7月	490億円	1,289億円	タンパク質標的/ 低分子医薬

出典:みずほ証券医薬・バイオマンスリー2024年2月号および各社開示情報をもとに当社にて作成



4 事業ハイライト

Business Highlights

2023年12月期の事業ハイライト

▼5月



事業協力

mRNA標的 low molecular weight 医薬品の開発を目指す製薬企業のニーズに応えるため、事業協力に関するMOUを締結

▼6月



共同創薬研究開始

複数の遺伝性疾患に対して、mRNAを標的とした革新的な低分子医薬品の研究開発を目的とした共同創薬研究・ライセンス契約を締結

▼12月



共同研究検討開始

RNAを標的とした革新的な核酸医薬品の研究・開発・製造を目指した共同研究について検討することに合意

▼12月



マイルストーン達成

がん疾患関連の複数遺伝子を標的としたmRNA標的 low molecular weight 医薬品の創出を目指す共同創薬研究においてマイルストーンを達成

日本最大の製薬会社である武田薬品との契約締結

これまでの共同研究・共同創薬研究の実績を通じて武田薬品との契約締結に至る。複数の遺伝性疾患に対してmRNA標的的低分子創薬研究を実施中

2023.06.23

Press Release

Veritas In Silico、武田薬品とmRNAを標的とした低分子医薬品の共同創薬研究・ライセンス契約を締結

※本資料は、2023年6月23日（日本時間）に発表した英語のプレスリリースを翻訳したものであります。資料の内容および解釈については、英語版が優先されます。

英語版は、https://www.veritasinsilico.com/en/pressrelease/20230623_400/ をご参照下さい。

株式会社Veritas In Silico（本社：東京都品川区、代表取締役社長：中村慎吾、以下「VIS」）は、このたび、複数の遺伝性疾患に対して、mRNAを標的とした革新的な低分子医薬品の研究開発を目的とした共同創薬研究・ライセンス契約を武田薬品工業株式会社（本社：大阪府大阪市、代表取締役社長兼CEO：クリストフ・ウェバー、以下「武田薬品」）と締結しました。

本共同創薬研究では、任意のmRNAにおけるインシリコによる標的同定、堅牢かつ定量的なハイスループットスクリーニング、およびmRNA標的向けに最適化した各種創薬技術からなるVIS独自の創薬プラットフォーム「ibVIS[®]」を活用します。武田薬品は、本共同創薬研究により得られる製品の全世界における開発、製造、販売に関する権利を取得することになります。

ラクオリア創薬と共同創薬研究開始1年でマイルストーンを達成

ラクオリア創薬は、当社とのmRNA標的的低分子創薬研究をがん治療分野における重要なパートナーシップと位置付けている

がん治療分野における買収とパートナーシップから新規モダリティによりアンドラッグブルを切り拓く



出典：ラクオリア創薬 事業計画および成長可能性に関する事項より抜粋

その他:競合他社に並ぶ技術力

国際会議でも競合他社と比肩して高く評価される当社創薬技術

米国で2023年8月に開催された国際会議「RNA Assay Development & Screening Summit」では、
当社の主席研究員が主要な招待講演者の一人に！当社の創薬技術は海外競合他社に比肩すると評価されている

Your Expert Speakers Include:



Matthew Disney
Professor & Chair of Chemistry
Scripps Research



Nick Marsh
Head of Molecular Pharmacology
Arrakis Therapeutics



Wencheng Li
Director of Bioinformatics
PTC Therapeutics



Ella Morishita
Senior Investigator
Veritas In Silico



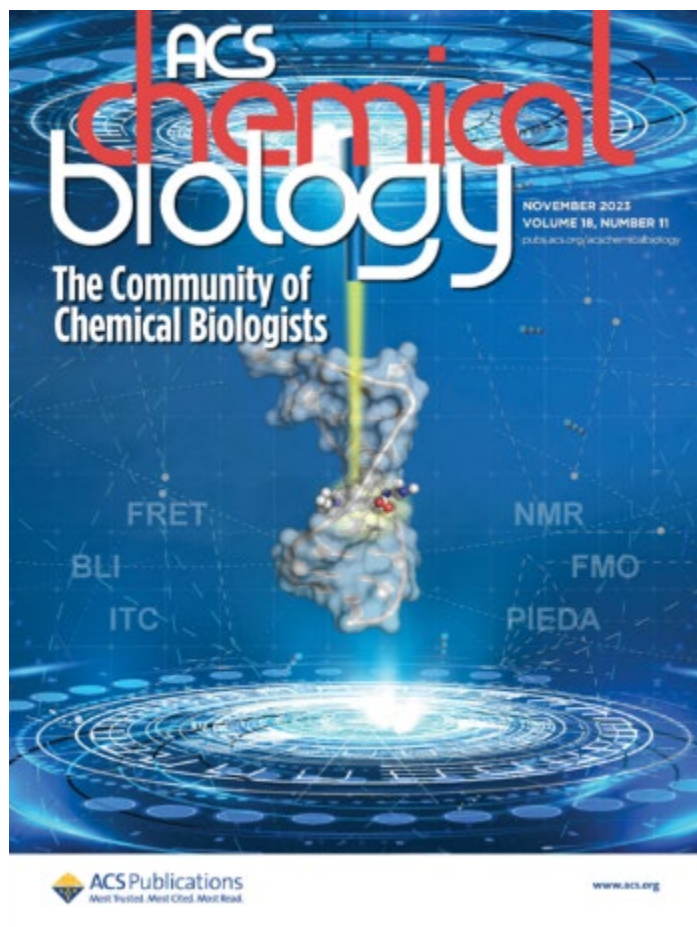
May Khanna
Associate Professor
New York University



Peter Connolly
Senior Director of Structural Biology
Expansion Therapeutics

RNA構造により強く結合する新規化合物をコンピュータ技術で設計

mRNA標的の低分子医薬品の合理的な設計にフラグメント分子軌道(FMO)法が有用であることを発表し、当社の化合物最適化技術の有用性を実証したこの学術論文は、低分子化合物とRNAの結合の実測値とFMO法による計算値の相関関係を示した世界最初の例である

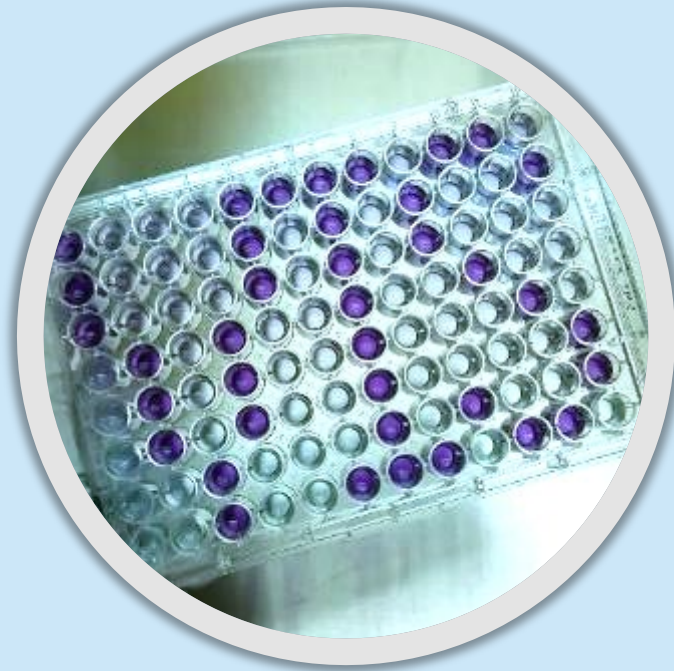


当社主席研究員・森下のデザインが表紙を飾っている

The image is a screenshot of the ACS Chemical Biology article page. The title is "Probing RNA–Small Molecule Interactions Using Biophysical and Computational Approaches" by Amiu Shino, Maina Otsu, Koji Imai, Kaori Fukuzawa, and Ella Czarina Morishita*. The article is available for citation (ACS Chem. Biol. 2023, 18, 2368–2376) and can be read online. A note indicates that the red line in the chemical structures below is the design by VIS scientists.

論文掲載結果の一部

スクリーニングで得られた 基点化合物	より高い活性をもつと予測した 新規設計化合物



5 事業進捗

Business Progress


製薬会社との共同研究・共同創薬研究を糧にさらなる事業拡大へ

プラットフォーム型ビジネスの特性を生かしたibVIS®の技術力向上を達成し(2019年～)、より高収益の共同創薬研究契約の締結が可能になった(2021年～) Oncodesign Services (ODS) との事業協力により、新規契約を獲得してさらなる事業拡大を目指す(2023年～)



共同創薬研究において「細胞内での効果」を示す化合物を取得

現在共同創薬研究が進捗している東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品のプロジェクトでは、対象疾患は様々であるものの順調に進行中
 全社の中で最も進んでいるプロジェクトは、「ヒット化合物検証」の段階であり、本創薬で最も重要な検討項目「細胞内での効果」を示す化合物を取得済みである

主な提携先	提携時期	対象疾患	創薬研究進行段階	経済条件
	2021年4月	非開示	 <p>製薬会社との共同創薬研究で最も進んでいるプロジェクトは「ヒット化合物検証」の段階</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ VIS化合物持分あり^(注)
	2021年11月	感染症 精神・神経系疾患		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金最大850億円 ・ ロイヤリティあり
	2022年12月	がん領域		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり
	2023年6月	非開示		<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり

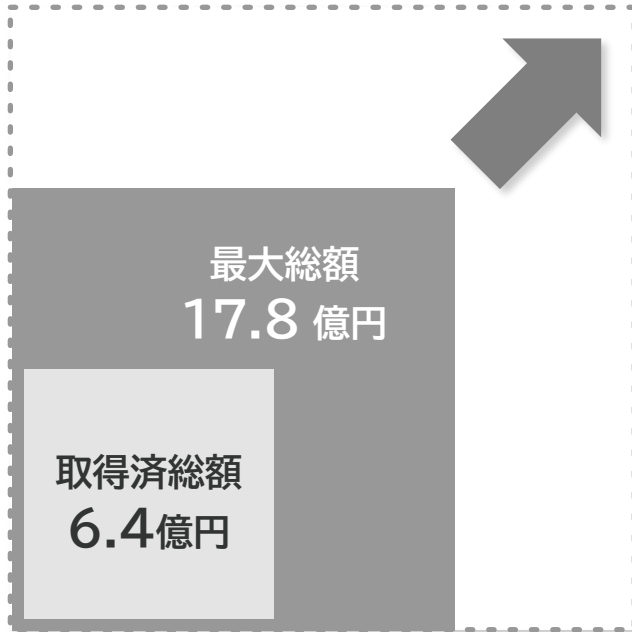
(注) 東レとの共同創薬研究では、医薬品候補化合物の権利は東レと当社で共有し、当社は化合物の持分に応じた収益を受領する

共同創薬研究契約から短中長期的に得られる収益のポテンシャル

既存の共同創薬研究契約にもとづき短期的(創薬研究期間中)、中期的(開発期間中)な事業収益源を確保している

医薬品が上市された場合には、長期的(販売期間中)に数%のロイヤリティおよび販売額に応じたマイルストーン収入が見込まれる

契約一時金・研究支援金・ 研究マイルストーン



開発マイルストーン



売上マイルストーン



2023年12月末現在

- 取得済収益 (2021年~2023年12月)
- 短期的収益 (創薬研究期間中に受領可能性)

- 中期的収益 (開発期間中に受領可能性)
- 長期的収益 (販売期間中に受領可能性)

➤ 新規契約による収益拡大

(注)取得済総額は、共同研究により取得した収益を含む。マイルストーンは、いずれも既存のプロジェクトが全て成功した場合の最大値を示している
創業の成功確率は相対的に高くはなく、現実的に全てのプロジェクトが成功するわけではない点に十分留意が必要である



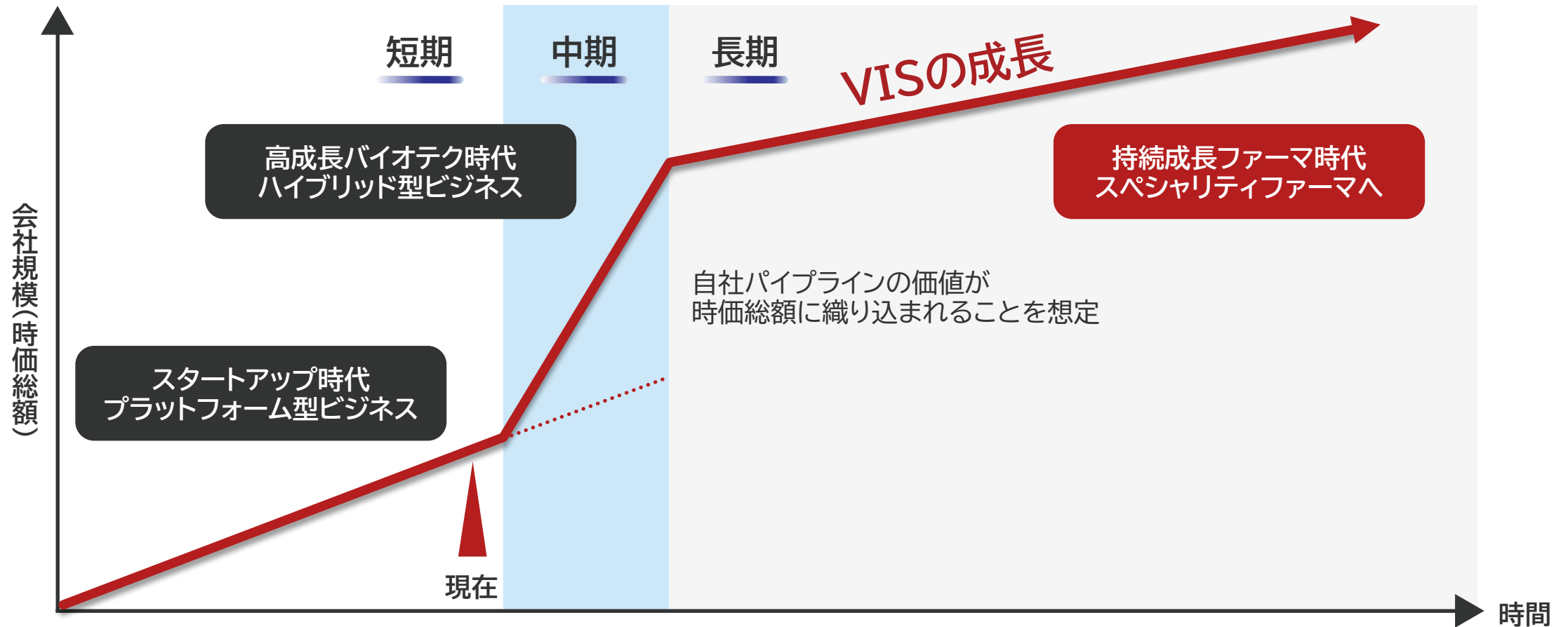
6 成長戦略

Growth Strategy

スタートアップ・バイオテック企業から持続成長可能なスペシャリティファーマへ

当社は、現在のプラットフォーム型ビジネスから高成長を目指すハイブリッド型ビジネスへの転換を図っている

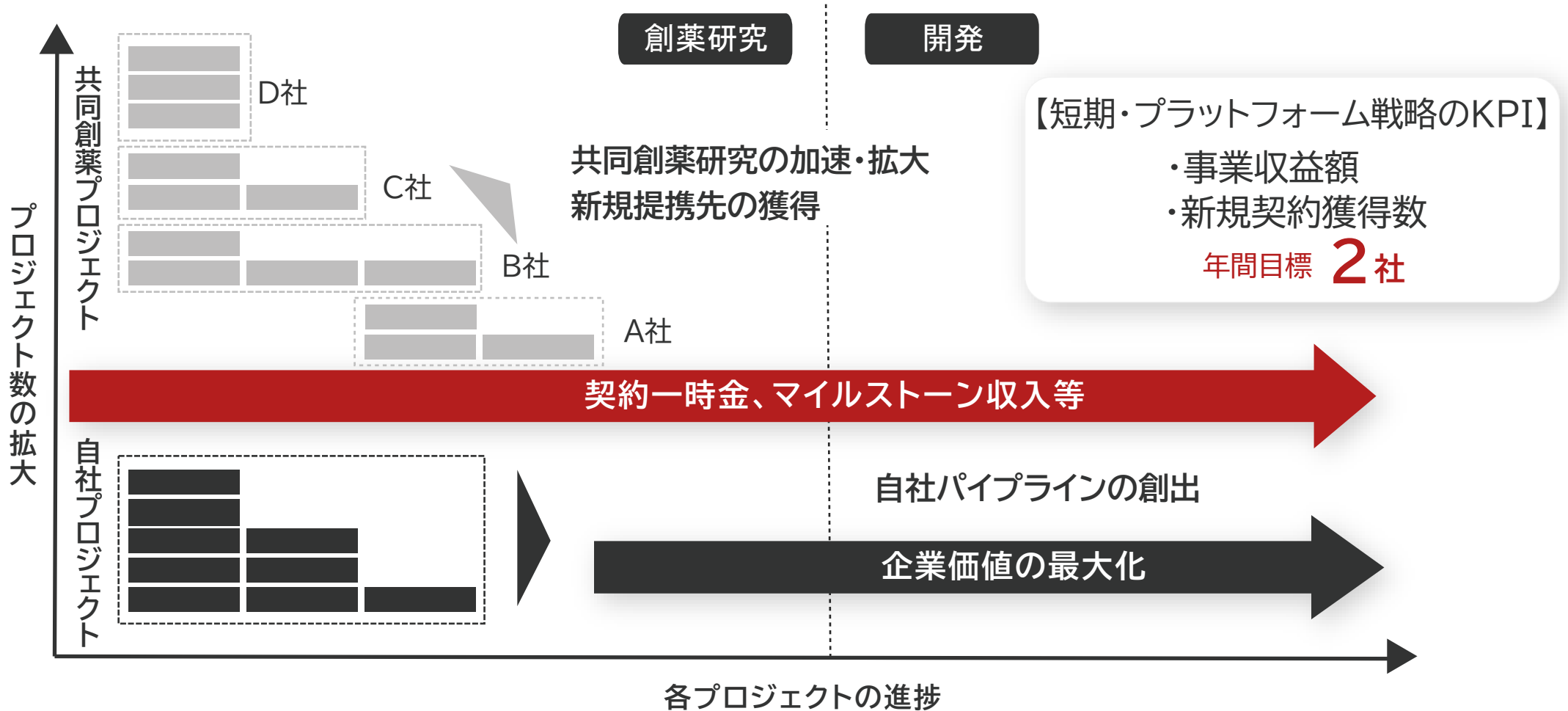
最終的には、持続的な成長を遂げるため、研究開発・販売機能等を備えた製薬会社(スペシャリティファーマ)へ移行する方針である



(注) あくまでも当社が目標とする成長のイメージであり、実際の時価総額の推移を示唆するものではありません

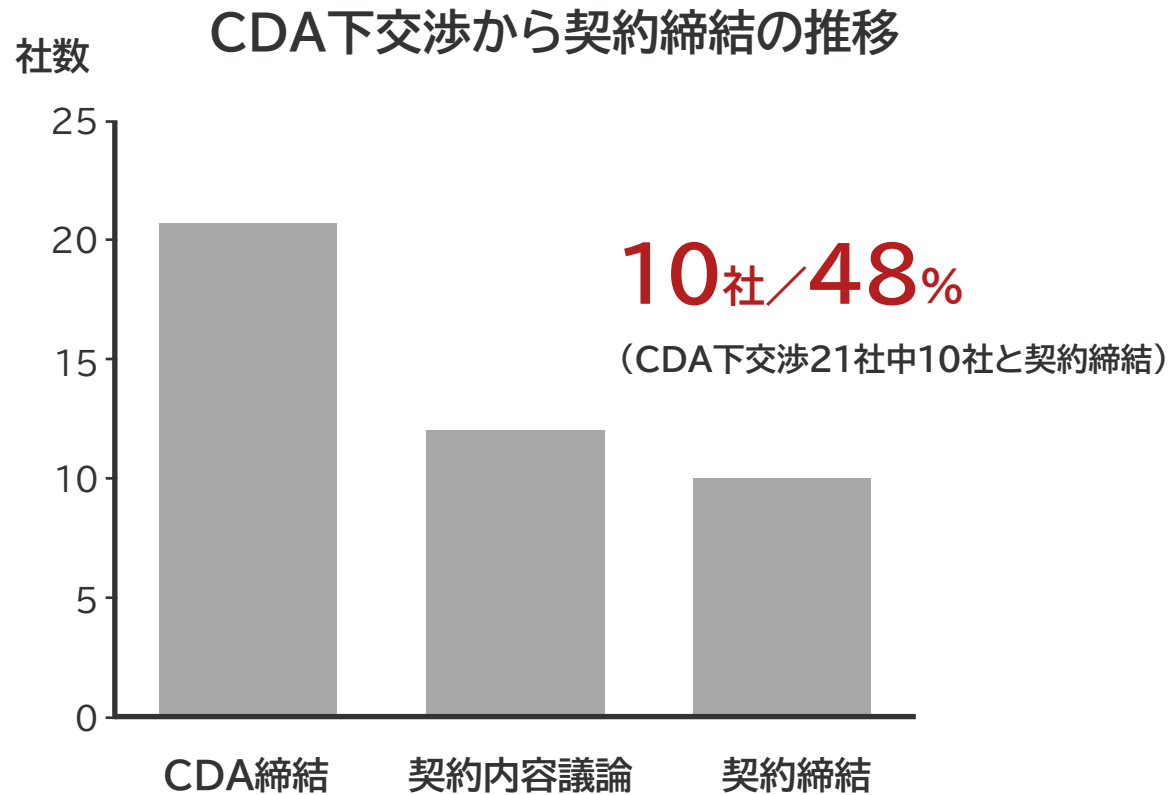
安定した収益の獲得と企業価値最大化(時価総額)の両立を目指す

短期的に、共同創薬プロジェクトを進捗させることで得られるマイルストーン収入等の収益全体および新規の契約獲得数年間2社をKPIとして成長を図る
中期的に、低分子医薬品や核酸医薬品のプロジェクトから自社パイプライン候補を選定のうえ研究を進め、自社パイプラインの創出につなげる方針である



年間2社との新規提携に必要な秘密保持契約数の確保

秘密保持契約(CDA)を締結した製薬会社のうち、CDA下の交渉の結果契約まで至った確率は48%、CDA締結から契約に至るまでの期間(中央値)は14か月
2024年には、現在有効なCDA締結先から2社との契約締結を目標とする。2025年以降も毎年2社と契約締結するため、その数に見合うCDA数の獲得を目指す



CROとの事業協力

これまでアプローチできなかったODSの顧客層との契約締結を目指す

CROとして確固たる経験・実績・顧客をもつODSは、mRNA標的の低分子創薬を次世代ビジネスと認識している

今後は、顧客紹介など事業開発への協力にくわえ、CROとして製薬会社と当社の共同創薬研究や自社パイプライン創出の取り組みへの事業協力が期待できる



会社名	Oncodesign Services (ODS)
代表者	Fabrice Viviani, President and CEO
設立年	1995年
WEB	https://www.oncodesign-services.com/



Key figures

1995

year created

230

employees incl. 22%
PhD

3

sites

1,000

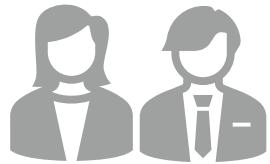
clients

2023年12月末現在
出典: Oncodesign Services社のウェブサイト

公募で調達した資金は持続的成長の原資へ

上場会社として十分な管理部体制を構築しつつ、研究員および事業開発人員の増強により、海外展開を含めたプラットフォーム型ビジネスの拡大に対応する
その他、ハイブリッド型ビジネスへの転換に備え、自社パイプラインの創出に耐えうる研究設備や施設等の準備資金として使用する計画である

人員計画



製薬会社への変革を目指して

- 研究員・事業開発人員の増強
- 上場会社に耐えうる管理部体制の増強

4.3億円

(運転資金のうち、
広告宣伝費以外)

マーケティング計画



海外進出による創薬
パートナーシップ拡大へ

- 海外進出
- 事業開発に直結する研究データの創出
- ODSとの事業協力

0.6億円

(運転資金のうち、
広告宣伝費)

研究開発計画



自社パイプラインの創出

- 自社パイプラインの創出準備
- 2026年度に自社パイプラインの前臨床試験を開始予定
- 三菱ガス化学との事業協力

3.9億円

(研究開発費)

設備投資計画



自社研究を頑強にするための
設備増強・計算能力拡大

- 研究所の拡大・移転
- 計算能力・AIの増強
- 各種自動化
- KDDIとの事業協力

0.4億円

(設備投資)

mRNA関連創薬の事業の多角化による持続的成長を目指す

当社のインシリコRNA構造解析は、mRNA関連の様々な創薬に応用可能。中期的にハイブリッド型ビジネスに転換する際には、低分子・核酸医薬品を自社パイプラインの有力候補とする。これらに加え、アカデミア・企業との共同研究等を通じてmRNA医薬品とncRNA標的医薬品を事業の一つとすることで長期的な事業の多角化を図る



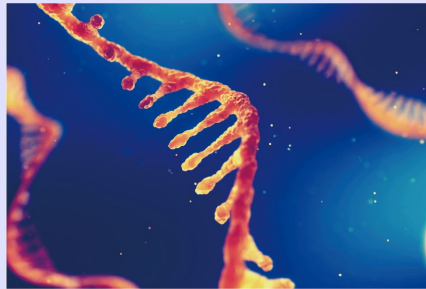
01



mRNA標的的低分子医薬品

タンパク質標的の低分子創薬では技術的に解決できない治療ニーズや、抗体等、高価な治療法しかない治療ニーズへの解決策となる

02



核酸医薬品(mRNA標的)

副作用が少なく細胞膜透過性の高いシンプルな核酸医薬を創出する希少疾患の治療ニーズへの解決策となる

03



mRNA医薬品

医療用のmRNAの配列を設計するタンパク質補充療法に代わる治療ニーズへの解決策となる

04



ncRNA標的医薬品

タンパク質の設計図ではないRNA(ncRNA)を制御する低分子医薬品・核酸医薬品を創出する

三菱ガス化学と核酸医薬品の研究・開発・製造を目指した共同研究検討

インシリコRNA構造解析により、当社では短期間で核酸医薬品の医薬品候補化合物の取得が可能(最短8カ月で取得)

事業多角化のため、核酸医薬品の創出をmRNA標的的低分子創薬事業に次ぐ重要事業に位置付けている

2023.12.08

Press Release

三菱ガス化学とVeritas In Silico、RNAを標的とした医薬品開発に関する共同研究の検討について

三菱ガス化学株式会社(本社：東京都千代田区、社長：藤井 政志、以下「MGC」と)と株式会社 Veritas In Silico(本社：東京都品川区、代表取締役社長：中村 慎吾、以下「VIS」)は、RNAを標的とした革新的な核酸医薬品の研究・開発・製造を目指して、共同研究を検討することに合意しました。

RNAを標的とした創薬は、タンパク質を標的とした従来型の創薬による医薬品開発の難易度上昇にともない、注目を集めています。核酸医薬をはじめ、mRNA医薬やRNA標的的低分子創薬について、今なお技術開発が必要な分野であり、現時点で治療のための幅広いニーズに十分応えられていません。

VISは、mRNA標的創薬のパスファインダー(開拓者)として、任意のmRNAにおけるインシリコによる標的同定、堅牢かつ定量的なハイスループットスクリーニング、およびmRNA標的向けに最適化した各種創薬技術からなる独自の創薬プラットフォーム ibVIS[®]により、mRNA標的的低分子医薬品の実現を切り開いています。この創薬プラットフォームは、核酸医薬、mRNA医薬の創出にも有効と考えています。

将来の企業価値最大化を支える低分子医薬品の自社プロジェクト

医療ニーズの高いがん領域を中心に、将来のハイブリッド型ビジネスの基礎となる低分子医薬品の自社プロジェクトを準備している^(注1) ^(注2)

ビジネスモデルを転換する際には、医薬品1品目あたり年間200億円以上の売上を見込めるプロジェクトを、自社パイプラインの候補に選定する方針である

ターゲット探索 ▶

スクリーニング ▶

ヒット化合物検証 ▶

リード化合物最適化

がん領域

リンパ腫 (遺伝子: c-Myc)

前立腺がん (遺伝子: AR)

各種がん (遺伝子: STAT3)

各種がん

各種がん

各種がん

中枢神経系

疼痛疾患

希少疾患系

循環器疾患

筋疾患

(注1) 現時点(2023年12月末現在)、進捗しているプロジェクトはありません

(注2) これらのプロジェクトは、製薬会社との共同創薬プロジェクトを当社の自社プロジェクトとして譲り受けたものです

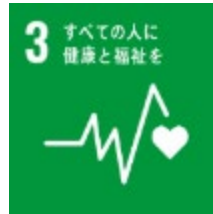
自社プロジェクトとして再開する際には、事業の自由度を確保するために、改めてスクリーニングから実施する必要があります

医療に携わる一企業として世界中の人々の健康と福祉に貢献する

製造コストが低く、患者様への負担も小さい低分子医薬品の創出に真摯に取り組むことで、より多くの患者様の健康と福祉に貢献する
その他、上場会社として社会で果たすべき役割、社内人材の育成等を通じて持続可能な開発目標(SDGs)の達成に努める

事業活動 による取組み

新規の創薬技術で未だ満たされない医療ニーズに応える



創薬パートナーと革新的な医薬品の創出に取り組む



社内人材 に向けた取組み

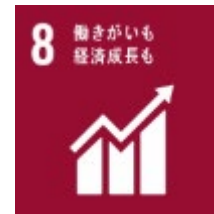
従業員の活躍支援

- ・ 男性の育児休暇取得
- ・ 育児と仕事の両立支援



スキル向上機会の提供

- ・ 専門知識の提供
- ・ 先端技術習得の機会



社会 に向けた取組み

mRNAに関するアカデミアとの共同研究

大学等教育機関での講義



全ての患者様に届けられる低分子医薬品の創出を目指す





理念

mRNA標的低分子創薬で 希望に満ちたあたたかい社会の実現を

創薬のフロンティアを
切り拓くパスファインダー
(Pathfinder)として

どんな疾患の患者様も
最適な治療が
受けられるように



Appendix

用語解説①

用語	解説
医薬品候補化合物	医薬品候補化合物は、リード化合物を化学合成によりさらに改善したものであり、当社の創薬研究ステップの最終成果物である。医薬品候補化合物は、動物等を用いた非臨床試験にて、その有効性と安全性を国際的な基準の下で確認した後、最終的に、ヒトを対象とした試験(臨床試験)に用いられる。臨床試験の結果を規制当局に申請後、審査を経て承認されると医薬品となる。
インシリコ	インシリコ(in silico)は、生物学でいうin vivo(生体内)やin vitro(試験管内)とのアナロジーであり、「コンピュータを用いて」を意味する。すなわち、コンピュータを使った計算により、ゲノムをはじめとした生体分子の構造などを数値化し、生理的な条件を踏まえて研究することを指す。
核酸医薬品	DNAやRNAといった遺伝情報を司る物質「核酸」そのものを利用した医薬品であり、従来のタンパク質を標的とする低分子医薬品や抗体医薬品では狙えないmRNA等を創薬標的とすることができる。分子量は低分子医薬品と抗体医薬品の中間にあたり、中分子医薬品とも呼ばれる。商業製造法が確立途中であるため、製造コストは、高額と言われる抗体医薬品よりもさらに高額となる。また抗体医薬品と同様に、主に注射により投与される。
研究開発	医薬品の研究開発とは、新しい医薬品を市場に投入するまでの一連のプロセスをいう。そのうち、研究(創薬研究、基礎研究)は、当社がibVIS®プラットフォームにより技術提供が可能な「ターゲット探索」「スクリーニング」「ヒット化合物検証」「リード化合物最適化」に至る医薬品候補化合物を取得するまでのプロセスであり、開発は、医薬品候補化合物取得後の非臨床試験、臨床試験に加え、承認申請及び規制当局の承認を含む非臨床試験以降の全てのプロセスである。
合成展開	低分子医薬品の創出を目的として、低分子化合物を多数合成していくことをいう。具体的には、スクリーニングでヒットした低分子化合物等を基点に、目的(活性の向上、薬物動態、毒性の低減等)に合うように新たに構造が類似した低分子化合物を多数設計し、有機化学的に合成して用意する。この新たに用意された低分子化合物に対し各種の試験を行い、より目的にかなう低分子化合物選択し、その化合物を基点として合成展開は続けられる。このサイクルは、低分子医薬品として十分なプロファイルを持つ化合物が得られるまで続けられる。
抗体医薬品	体内に「抗体」を投与することで治療効果を得ようとする医薬品の総称。標的分子にピンポイントで作用させることができるため、高い治療効果と副作用の軽減が期待できる。一方、抗体医薬品は製造工程が複雑で品質の管理が難しいため、製造コストが高く、薬価が高額となる。また核酸医薬品と同様に、現在は注射によってのみ投与されている。
スクリーニング	多数の化合物群(一般的に、数万種類以上の化合物からなるライブラリー)から、特定の条件を満たす化合物を選択するための実験方法のこと。
低分子医薬品	一般的に分子量が500以下の医薬品。飲み薬や貼付薬など様々な投与方法に展開することが可能である。また製造は化学合成によるため、品質の管理が容易であり、また商業製造法が確立されているため、抗体医薬や核酸医薬品等と比べて極めて安価である。そのため最も一般的に流通し、医薬品市場の約半分を占めている。
統計力学	統計物理学ともいう。物質を構成する多数の粒子の運動に力学法則及び電磁法則と確率論とを適用し、物質の巨視的な性質を統計平均的な法則によって論じる物理学の分野。当社は、RNAの構造解析にこれら統計力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学	熱力学とは、巨視的な立場から物質の熱的性質を研究する物理学の一分野であり、系全体のマクロな性質を扱う理論である。複雑な系である生物学には当てはまらないとされることが多い。当社は、RNAの構造解析にこれら熱力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学的測定法	熱力学的測定法は、等温滴定型熱量測定 (Isothermal Titration Calorimetry; ITC)等により、結合分子を標的分子に滴下した際に起こる化学反応もしくは結合反応を観測する測定法。物質同士が結合する際には熱の発生もしくは吸収が起こるため、熱量変化を観測することにより、物質同士の結合を定量的に解析することができる。
パイプライン	非臨床試験・臨床試験など開発段階にある医薬品候補化合物(新薬候補)を当社ではパイプラインと呼び、非臨床前の創薬研究段階のプロジェクトと区別している。
ヒット化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、ヒット化合物は、創薬の初期のスクリーニングで発見された活性化合物のことを示す。

用語	解説
分光学的手法	物理的観測量の強度を周波数、エネルギー、時間などの関数として示すスペクトル(測定結果の成分を、量の大小によって並べて、解析しやすくしたもの)を得ることで、対象物の定量あるいは物性を調べる研究手法である。日本語では「光」という漢字を使うが、必ずしも光を用いる測定法のみが分光学的手法ではない。
リード化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、リード化合物は、ヒット化合物の次の段階の化合物であり、ヒット化合物を基礎に化学合成により手が加えられ、その活性が動物などで確認される等、ヒット化合物より良好な物性を示す化合物のこと。さらに、活性、溶解度などの物性、毒性、飲み薬にした場合に化合物が吸収されるかなど(薬物動態)の点を化学合成によりさらに改善する基礎になる化合物。ただし、その基準は各製薬会社でさまざまである。
リボソーム	数本のRNA分子と50種類ほどのタンパク質で構成される巨大なRNAとタンパク質の複合体。大小2つの部分に分かれており、それぞれ 50Sサブユニット、30Sサブユニットと呼ばれる。あらゆる生物の細胞内に存在し、mRNAに転写された遺伝情報を読み取ってタンパク質を合成(翻訳)する機構として機能する。
量子化学	理論化学(物理化学)の一分野。主として分子や原子、あるいはそれを構成する電子などの振る舞いを、シュレディンガー方程式といった根源的な理論にもとづく数値計算によって解くことにより、分子構造や物性あるいは反応性を理論的に探究する学問分野である。
ASO	核酸医薬品のカテゴリーの一つ。mRNAに結合して主にタンパク質の合成(翻訳)を制御する働きを持つ。ASOに安定性や機能などを追加することを目的として、様々な化学的な修飾を導入することができる。
BLI	BLI(Bio-Layer Interferometry; バイオレイヤー干渉法)。熱力学的測定法の一つ。核磁気共鳴センサーチップ上に固定した生体分子と、溶液中の分子の相互作用を測定する装置。当社では、構造をとったRNAをセンサーチップ上に固定し、スクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物を流して、両者間の相互作用を測定することに使用している。高速に測定できるほか、ごく微量でも測定可能であることが特徴。
DNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子)のうち、糖の部分がデオキシリボースからなる物質であり、デオキシリボ核酸とも呼ばれる。地球上のほぼ全ての生物において遺伝情報の継承を担う生体高分子である。
ITC	ITC(Isothermal Titration Calorimetry; 等温滴定型熱量測定)。熱力学的測定法の一つ。分子同士が結合する時に発生する微小な熱量変化を計測し、相互作用解析に用いる装置。当社では、RNAとスクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物との相互作用を測定することに使用している。一般的に、得られる相互作用の数値は他の手法よりも正確だといわれるが、測定に時間がかかり、多くの試料を要するというデメリットがある。
mRNA	遺伝情報であるDNA配列を写しとって、タンパク質合成のために情報を伝達するRNA。mRNAは、細胞内でタンパク質が合成される際的设计図であり、各タンパク質に対応してそれぞれ個別のmRNAが存在する。
NCBI	NCBI(National Center for Biotechnology Information; 国立バイオテクノロジー情報センター)。米国国立衛生研究所の下の国立医学図書館の一部門として設立された公的機関。最も信用のおける遺伝子情報等のデータが蓄積されているため、当社では、使用するmRNAの塩基配列情報を主としてNCBIデータベースより取得している。
NMR	核磁気共鳴(Nuclear Magnetic Resonance)。分光学的測定法の一つ。磁場を与えられた状態の原子核に外部から電磁波を照射し、特定の電磁波を吸収する現象(共鳴現象)を観測することで、物質の構造的情報などを取得する方法。当社では、RNAの二次構造情報の取得に加え、ヒット化合物等の低分子化合物がRNAに結合する様子や、RNAの三次元構造の解析にも使用している。
qFRET	qFRET(Quantitative Fluorescence Energy Transfer; 定量的蛍光共鳴エネルギー移動法)。当社独自の実験プロトコル、実験機器、データ解析手法を統合することにより、蛍光共鳴エネルギー移動法に定量性を持たせた研究手法。
RNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子。DNAも核酸の一種)のうち、糖の部分がリボースからなる物質であり、リボ核酸とも呼ばれる。生体内において、遺伝情報の伝達など多くの生命現象にかかわっている。遺伝情報を伝達するメッセンジャーRNA(mRNA)、タンパク質の原料であるアミノ酸を運ぶ機能を担う転移RNA(tRNA)、リボソームを構成するリボソームRNAなどに分類される。