

事業計画及び成長可能性に関する事項の開示

2024年6月時点

Chordia Therapeutics株式会社

目次

1. 事業概要
 2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
 3. パイプラインの特徴
 4. 事業計画
- Appendix.

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。

Tomorrow is Another Day

明日に希望を感じる社会の実現

「日本発」「世界初」のこれまでにない新しい抗がん薬を、
一日でも早く患者様のもとに。

Mission

We are passionate to deliver first in class cancer drugs to patients.

First in Class 抗がん薬を創る

2030 Vision

To be an R&D oriented pharmaceutical company based in Japan.

日本発の研究開発型の製薬会社になる

会社概要（2024年5月末時点）

会社概要

会社名	Chordia Therapeutics株式会社
創業	2017年11月
代表者	代表取締役CEO 三宅 洋
本社所在地	神奈川県藤沢市村岡東2-26-1
社員数	22名（うちPhD12名）
資本金	90百万円
累積調達額	82億円

沿革

2017年	10月	• Chordia Therapeutics株式会社が神奈川県藤沢市の湘南アイパーク内にて設立
	11月	• 武田薬品工業株式会社とライセンス契約を締結し、4プログラムの全世界での独占的实施権を獲得 • 武田薬品工業株式会社、京都イノベーションキャピタル株式会社、他数社を引受先とする出資契約を締結
2018年	8月	• 抗がん薬化合物CTX-712の日本での第1相試験を開始
2019年	3月	• ジャフコグループ株式会社、京都イノベーションキャピタル株式会社、他数社を引受先とする出資契約を締結
	4月	• 東京都中央区に東京事務所を設立
2020年	12月	• 小野薬品工業株式会社に対し、当社が保有する抗がん薬化合物CTX-177およびその関連化合物をグローバルでの独占的に開発、製造および商業化する権利について、ライセンス契約を締結
2022年	5月	• 日本グロースキャピタル投資法人、東京大学協創プラットフォーム開発株式会社、他数社を引受先とする出資契約を締結 • 株式会社メディパルホールディングスとの業務提携に関する基本合意書を締結 • シオノギファーマ株式会社と協業に関する基本契約書を締結
	8月	• 導出先である小野薬品工業株式会社が抗がん薬化合物CTX-177のアメリカでの第1相試験を開始
2023年	2月	• CTX-712の米国での第1 / 2相試験を開始
	8月	• CTX-712の日本第1相試験の症例登録終了

多様性と高い専門性を持つガバナンス体制

●業務執行取締役はCEOのみとし、経験豊富で多様性に富んだ社外取締役によるモニタリング機能を強化したガバナンス体制を構築



代表取締役/CEO：三宅 洋

- 2017年11月に共同創業者とともにChordia Therapeuticsを設立し、代表取締役社長・CEOに就任、現在に至る。Chordia入社以前は武田薬品工業の癌創薬ユニットの日本サイトヘッドを務めていた。20年以上の創薬研究の経験を有し、6つのプログラムで臨床試験の開始に貢献した。
- 大阪大学薬学部卒業、東京大学大学院薬学系研究課博士課程修了、薬学博士



社外取締役：嶋内 明彦

- 2018年1月に当社監査役に就任後、2022年10月の臨時株主総会にて社外取締役に就任、現在に至る。
- 味の素株式会社入社後、American Hospital Supply（現Baxter）、富士レピオ株式会社、Quintiles Translational Japan（現IQVIA）にて合弁会社設立、米欧現地法人立上げ経営、事業再建等の要職を務めた後、株式会社エムズ・サイエンスの経営に従事。2016年に株式会社INDEE MEDICALを設立し、2019年には同社をエムスリーの子会社であるコスモテックへのM&Aを実現した。



社外取締役監査等委員：石井 幸佑

（公認会計士／ラクオリア製薬社外取締役）

- 2021年6月に当社監査役に就任後、2022年11月の定時株主総会にて社外取締役監査等委員に就任、現在に至る。
- 新日本監査法人へ入所後、CFO派遣プログラムにより、iPS再生医療ベンチャーの株式会社メガカリオンに出向し2015年に転籍し同社執行役員として就任した。その後、2020年9月に株式会社バイオエイドを創業し、CFO支援、経営管理体制構築、ガバナンス体制支援を行うとともに、2021年3月にラクオリア創薬株式会社の社外取締役に就任している。



社外取締役監査等委員：西方 ゆかり

- 2022年10月に当社監査役に就任後、2022年11月の定時株主総会にて社外取締役監査等委員に就任、現在に至る。
- Chordia入社以前は、武田薬品工業のオンコロジー領域ユニット日本・アジアの代表を務めていた。30年以上にわたる製薬業界での経験を有し、研究戦略および開発戦略に加えて、米国法人のマネジメントおよび経営企画部における全社コントロールをおこなった経験を有している。



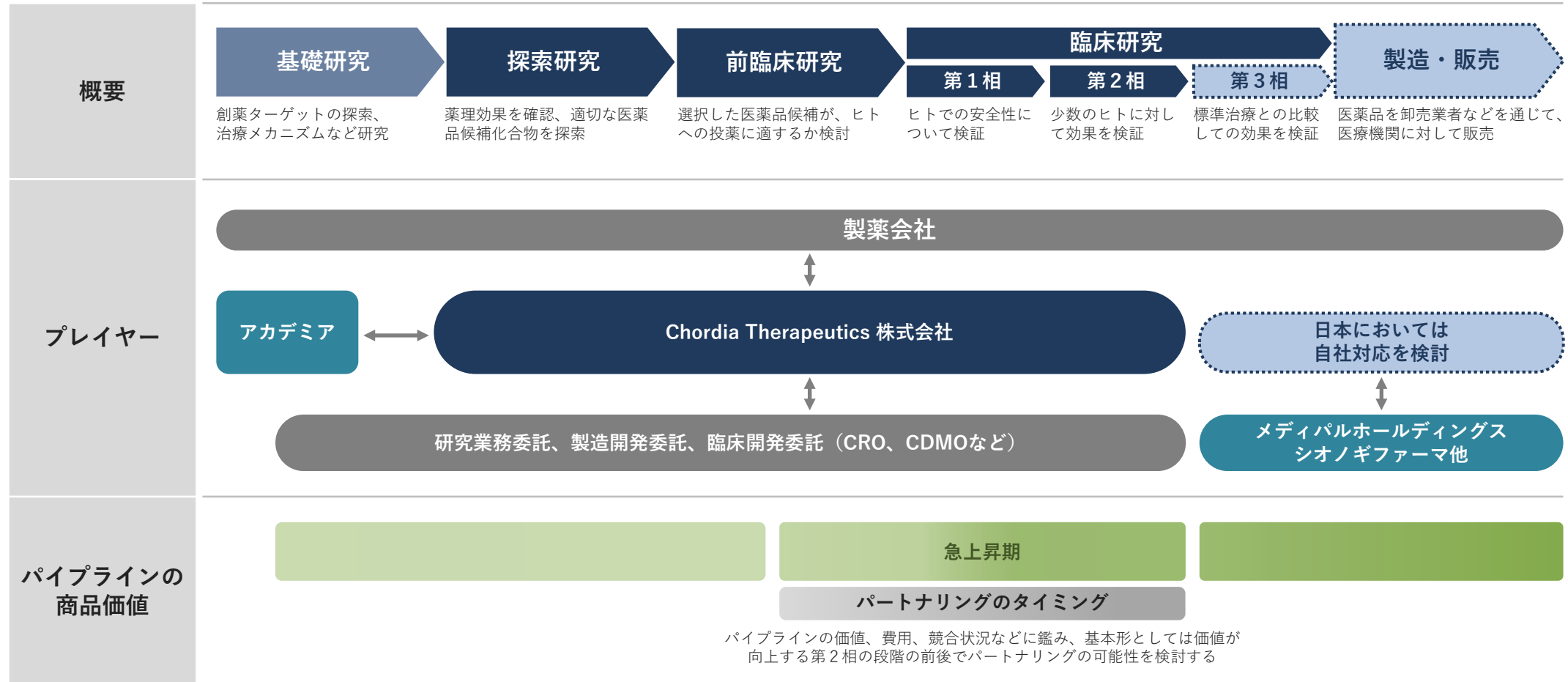
社外取締役監査等委員：橋本 阿友子

（弁護士：骨董通り法律事務所）

- 2021年6月に当社監査役に就任後、2022年11月の定時株主総会にて社外取締役監査等委員に就任、現在に至る。
- 2011年12月に弁護士登録後、2012年にはベーカー&マッケンジー法律事務所に入所。その後金子・中・橋本特許法律事務所を経て、2017年より骨董通り法律事務所所属。神戸大学大学院法学研究科非常勤講師、東京藝術大学 利益相反アドバイザーに従事している。

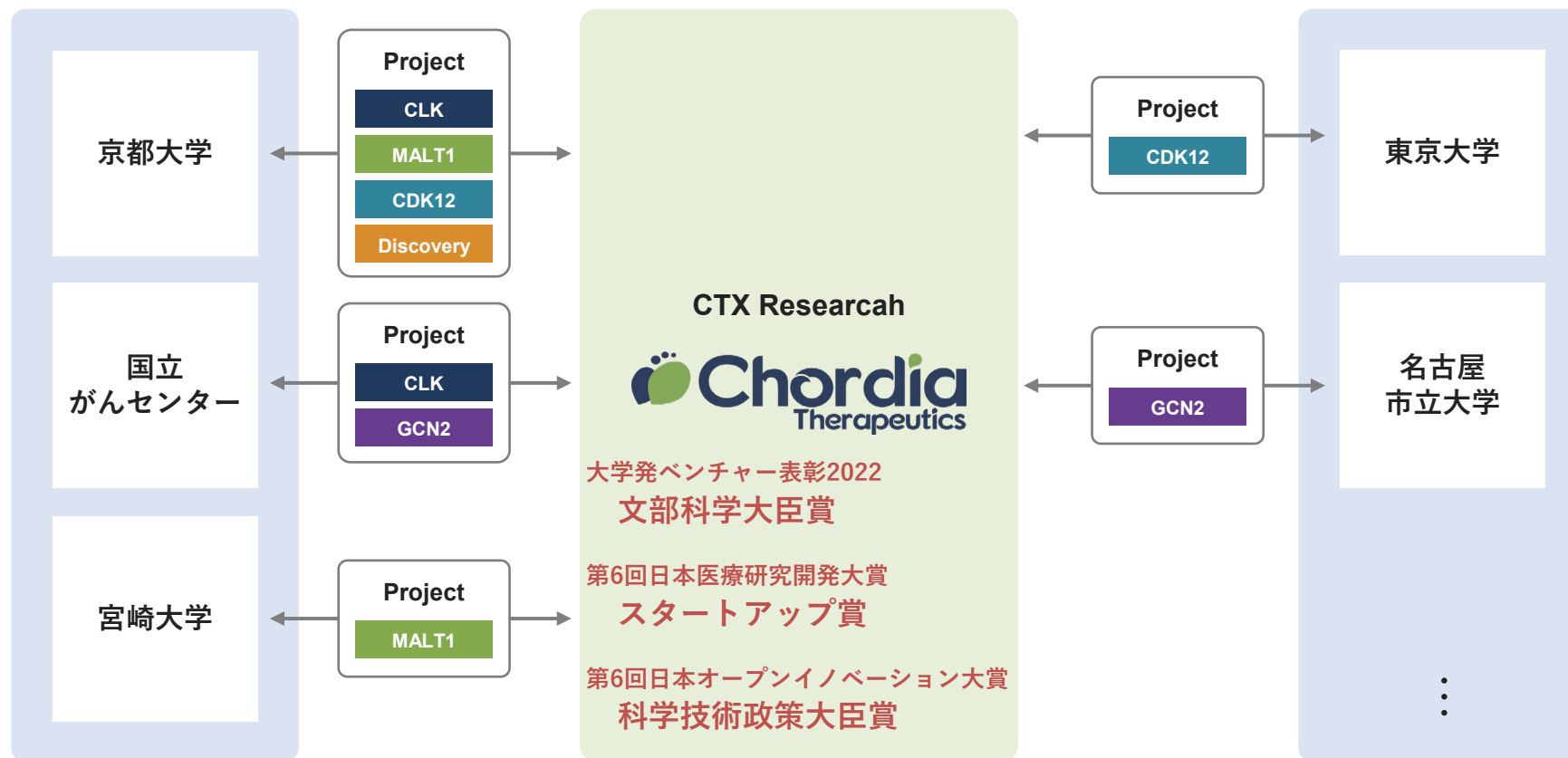
臨床POCを確立したパイプラインをもとに高利益なビジネスを目指す

- 探索研究から臨床研究までをコアビジネスとし、製造・販売については国内を自社で行い、国外はライセンスアウトを活用



産学連携にてファーストラインパイプラインを創出

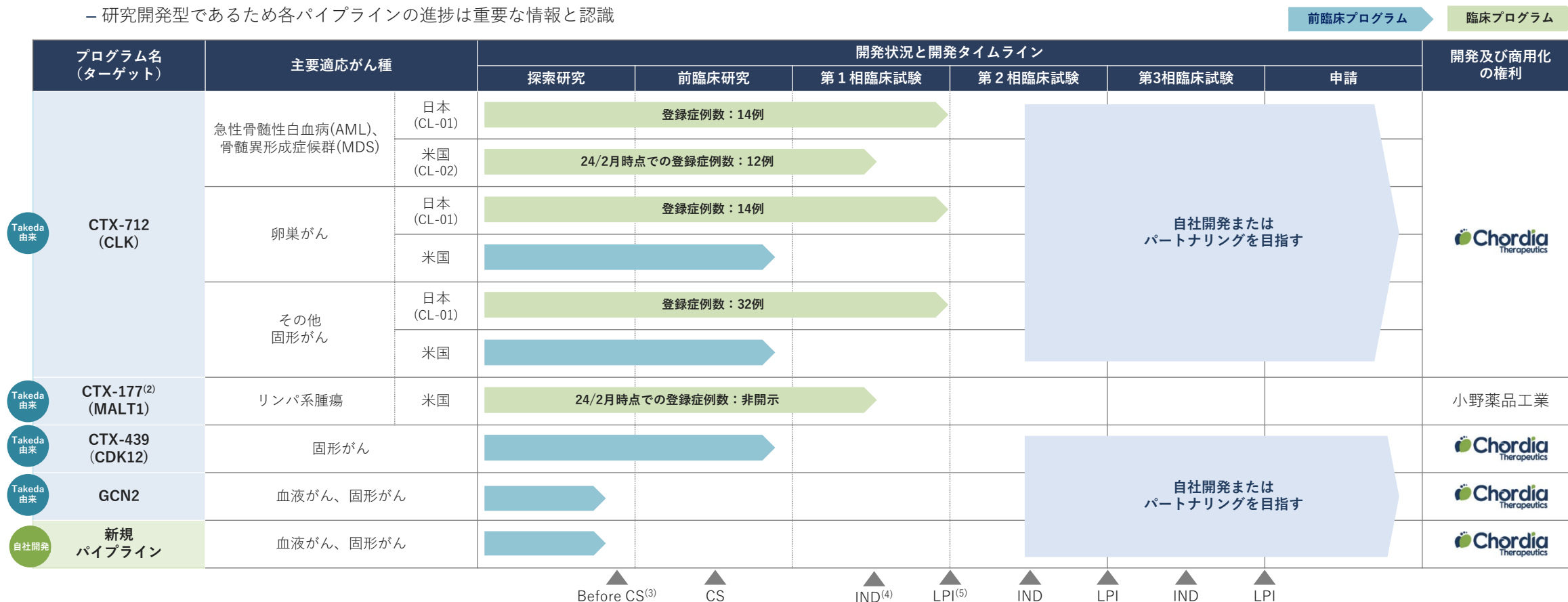
- 幅広い大学の産学連携をディスカバリーエンジンとして活用し、その実績は幅広い行政団体から高い評価を受ける



5つのパイプラインのうち、2つは臨床ステージ

●当社は研究開発型のバイオテック企業であり、事業モデルとして、特に国外はライセンスアウトを軸にしている⁽¹⁾

- 2つの臨床アセットに加え1つのアセットでは前臨床試験を実施中
- 研究開発型であるため各パイプラインの進捗は重要な情報と認識

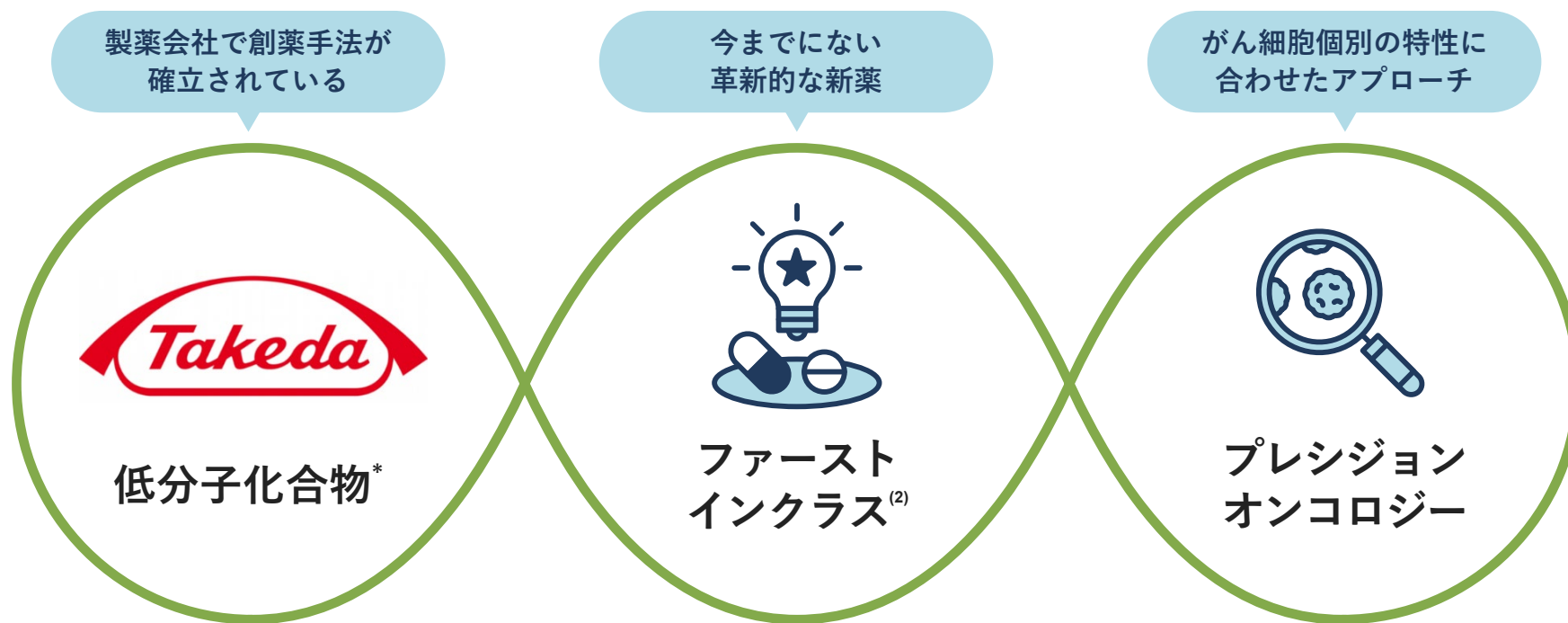


上記の情報には将来見直しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験または新薬の承認の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見直しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。

(1) 将来の日本における製造販売の機能については、スライド43頁をご参照下さい、(2) CTX-712, CTX-439および GCN2,と異なり、CTX-177の標的である MALT1については、RNA制御ストレスを対象としていません(3) CS: Candidate Selection (臨床候補化合物選定)、(4)IND: Investigational New Drug Application (治験申請)、(5)LPI: Last Patient In (被験者登録の終了)

グローバルスタンダードである当社のポジショニング

- 武田薬品工業のアセット、ノウハウ、ネットワークを受け継いだ研究開発能力でファーストインクラス⁽¹⁾の低分子抗がん薬を開発する



低リスクな創薬手法で高リスクのターゲットにチャレンジ
がん細胞の特性に合わせる事で、成功率を高めるアプローチを進行

*：分子量が1,000以下を当社では低分子化合物と定義

(1)ファーストインクラスとは 全く新しいとは、当該作用機序の薬がまだ商用化されていないことを指す。頁11を参照

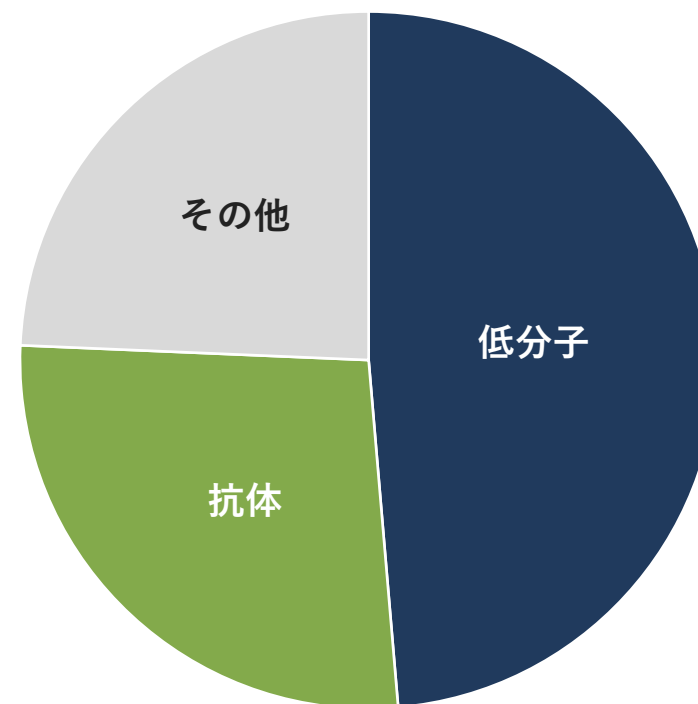
当社のポジショニング～低分子化合物創薬

- 低分子創薬の承認薬に占める割合は高く、創薬の手法として確立され、現在でも大部分を占めると考える

主要モダリティ別の市場規模予測

成長額 (2022-2028)		CAGR (2022-2028)
137B\$	低分子	4.3%
132B\$	抗体	8.4%
6B\$	細胞治療	48.8%
16B\$	遺伝子治療	45.3%

モダリティ別の新規承認薬



2022年FDA承認薬

当社のポジショニング～ファーストインクラス創薬

- ファーストインクラス創薬は、画期的な新薬を生み出す可能性があるものでリスクが高いものの、その革新性と潜在的な市場性への期待から、大手製薬会社が強い関心を示す傾向にある

ファーストインクラス創薬とは

新規性・有用性が高く、従来の治療体系を大幅に変えるような革新的医薬品

新しい作用機序であるため、安全性、有効性の予測が難しい

今までの治療薬で効果が出なかった患者に対して大きく効果がある可能性がある

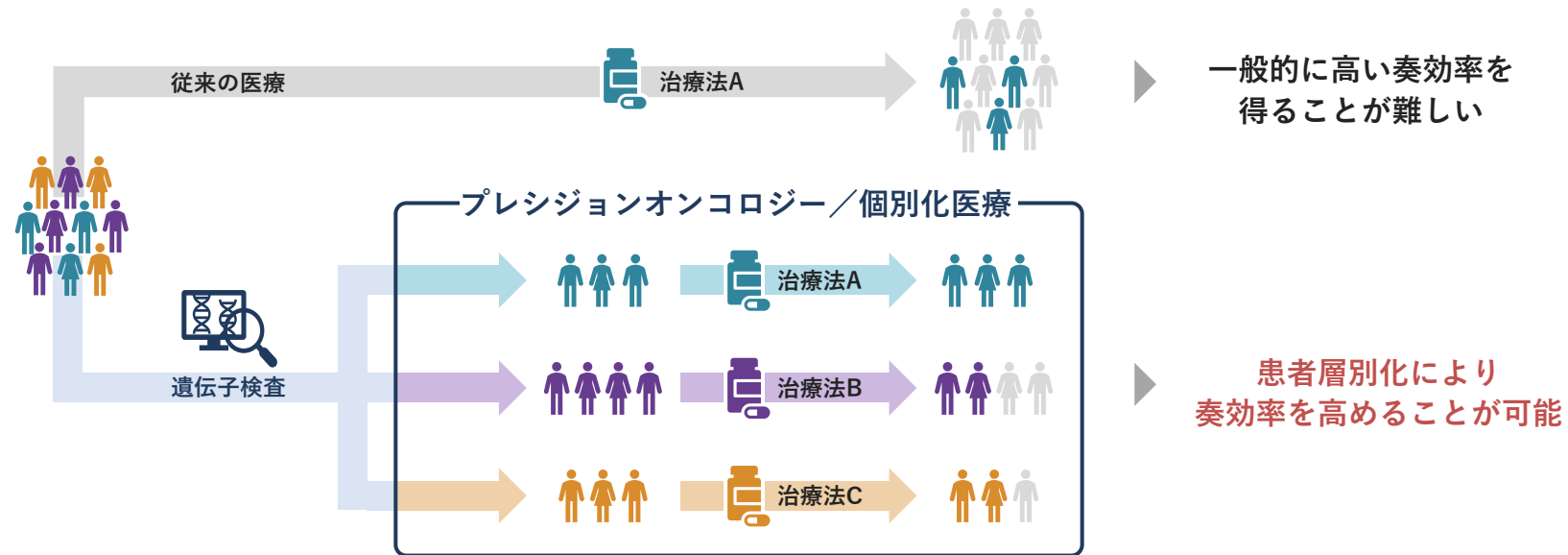
初めて市場に出るため、マーケットを大きく席卷できる可能性がある

新規性が高く難易度が高いため、高い薬価が期待できる

大手製薬会社が興味を持つ傾向にあり、大型のライセンス契約が期待できる

当社のポジショニング～プレジジョンオンコロジー

- RNA制御ストレスというがんの特性をとらえることに加え、非臨床での研究と臨床試験での結果を踏まえた個別化医療の研究を当社は実施している。当該研究により、患者様により有効性の高い治療を提供することを狙う



プレジジョンオンコロジーに対する具体的なChordia社での取り組みは

前臨床での研究に加え、臨床試験での結果を踏まえたうえでの患者層別の可能性を検討

CTX-712(CLK)

京都大学、国立がん研究センターとの
共同研究を継続実施中（特許出願中）

CTX-177(MALT1)

小野薬品に導出済みのため
非公開

CTX-439(CDK12)

京都大学、東京大学との
3者での共同研究を実施中

*イメージを示すためのみのものです。当社作成

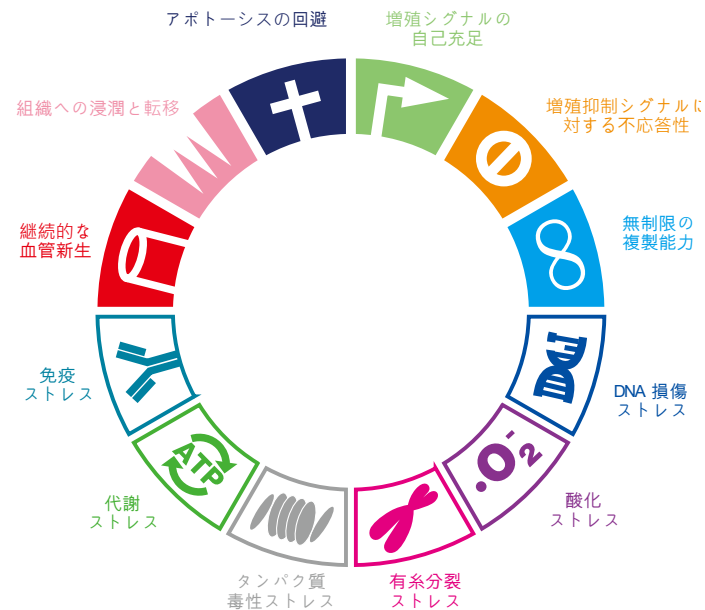
目次

1. 事業概要
 2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
 3. パイプラインの特徴
 4. 事業計画
- Appendix.

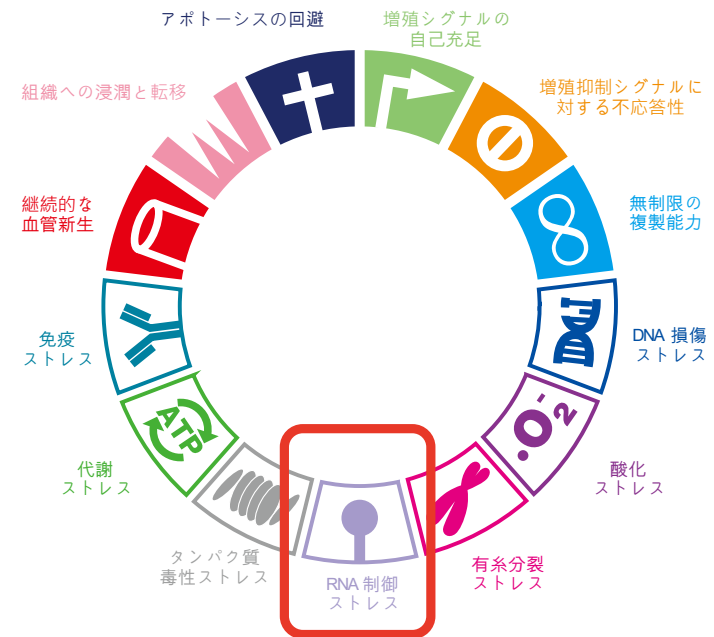
当社はがんの特徴であるるRNA制御ストレスの創薬に強みを持つ

- 従来がん細胞には12の特徴が存在することが知られていたが、2012年に新たにRNA制御ストレスが発見された。
- Chordiaはここに焦点を当てた研究開発を行っている
 - 近年見出されたRNA制御ストレスを標的とする抗がん薬開発は未だ十分に進んでおらず、新しい医薬品を創生できる可能性が期待される

これまでに提唱された12のがん細胞のHallmarks(1)



新しいがん細胞のHallmarksであるRNA制御ストレス(2)







新たに見出された特徴

(1) 公表情報をもとに当社作成 (Weinberg 2000 and Elledge 2009) (2) 公表情報をもとに当社作成 (Meyerson 2012).

RNA制御ストレスはブルーオーシャン

- がん細胞の特徴であるDNA損傷ストレス及びタンパク質毒性ストレスに着目したものが既に上市済
- RNA制御ストレスを標的とした治療薬は未だ上市品が存在せず、当社はこの研究領域に着目

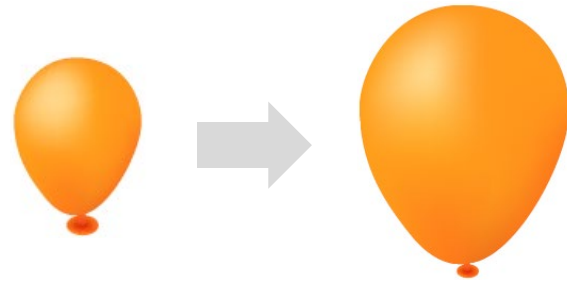
DNA、RNA及びタンパク質ストレスを標的とした上市済みの抗がん薬の現状と当社パイプライン

	DNA 損傷ストレス	RNA制御ストレス				タンパク質毒性ストレス	
	DNA複製	RNA転写	RNA スプライシング	RNA分解	RNA輸送	タンパク質輸送	タンパク質分解
上市製品 (標的分子)	LYNPARZA (PARP1/2) 前立腺がん、 卵巣がん、 乳がんなど	-	-	-	-	XPOVIO (XPO1) 多発性骨髄腫、 びまん性B細胞 リンパ腫	VELCADE (Proteasome) 多発性骨髄腫、 マンデル細胞 リンパ腫
Chordiaの パイプライン	-	 CDK12 (CTX-439)	 CLK (CTX-712)	 New	 GCN2	-	-

RNA制御ストレスを抗がん薬とするコンセプト

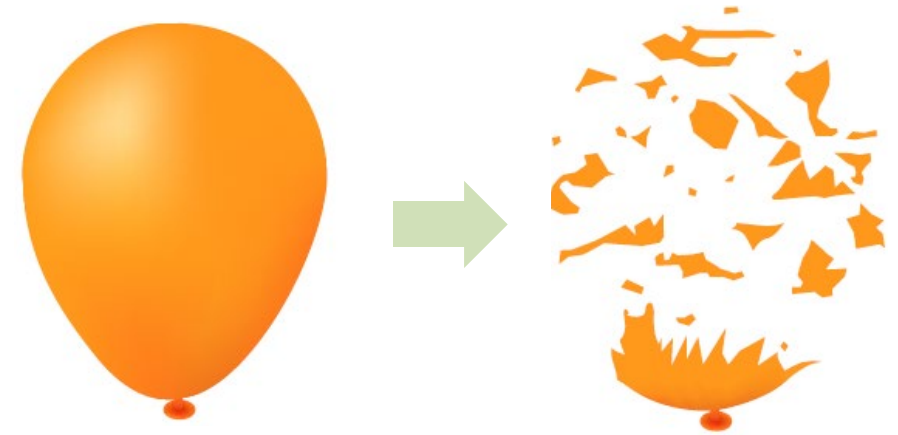
- がん細胞に比べてストレスがない正常細胞は、追加のストレス負荷にある程度耐えうる（上図）
- 既に大きなストレスが負荷されているがん細胞に追加でストレスを加えると、がん細胞は過剰なストレス負荷に耐えることが出来ずに死滅するものと期待される（下図）⁽¹⁾

正常細胞



ストレス追加時

がん細胞



ストレス追加時

*イメージを示すためのみのものです。当社作成
(1) 出典：Cell. 2009 Mar 6;136(5):823-37

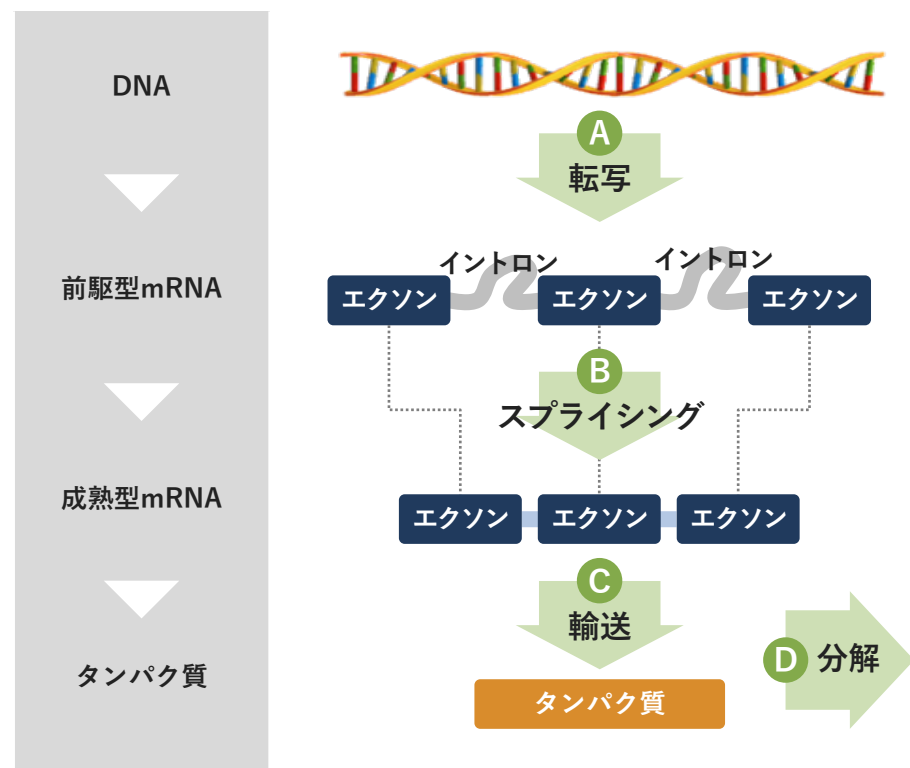
アジェンダ

1. 事業概要
 2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
 3. **パイプラインの特徴**
 4. 事業計画
- Appendix.**

RNAの生成プロセスと当社のパイプラインが作用する各過程

- CTX-177（MALT1阻害薬）を除く当社のパイプラインは、RNAを生成するそれぞれの過程に対して作用し、それぞれの作用が細胞に異なる負荷を掛けることで、既に負荷がかかっているがん細胞を選択的に死滅させる作用機序を持つ

正常なRNAを生成し、タンパク質を生成する過程



A：転写

当社パイプライン：CTX-439(CDK12阻害薬)

DNA情報をmRNAに写しとる過程。この転写過程を直接つかさどっている重要なタンパク質としてRNAポリメラーゼが知られている。RNAポリメラーゼはDNAを鋳型として前駆型mRNAを作る

B：スプライシング

当社パイプライン：CTX-712(CLK阻害薬)

転写後の前駆型mRNAはタンパク質を作るために必要なエクソン配列に加えてタンパク質合成に不要なイントロン配列の両方を含んでいるため、エクソン配列を繋げ、イントロン配列を取り除き、成熟型mRNAを作る過程

C：輸送

当社パイプライン：GCN2阻害薬

スプライシングを受けた成熟型mRNAやタンパク質を作るために必要なトランスファーRNA（tRNA）をタンパク質合成の場に輸送する過程。

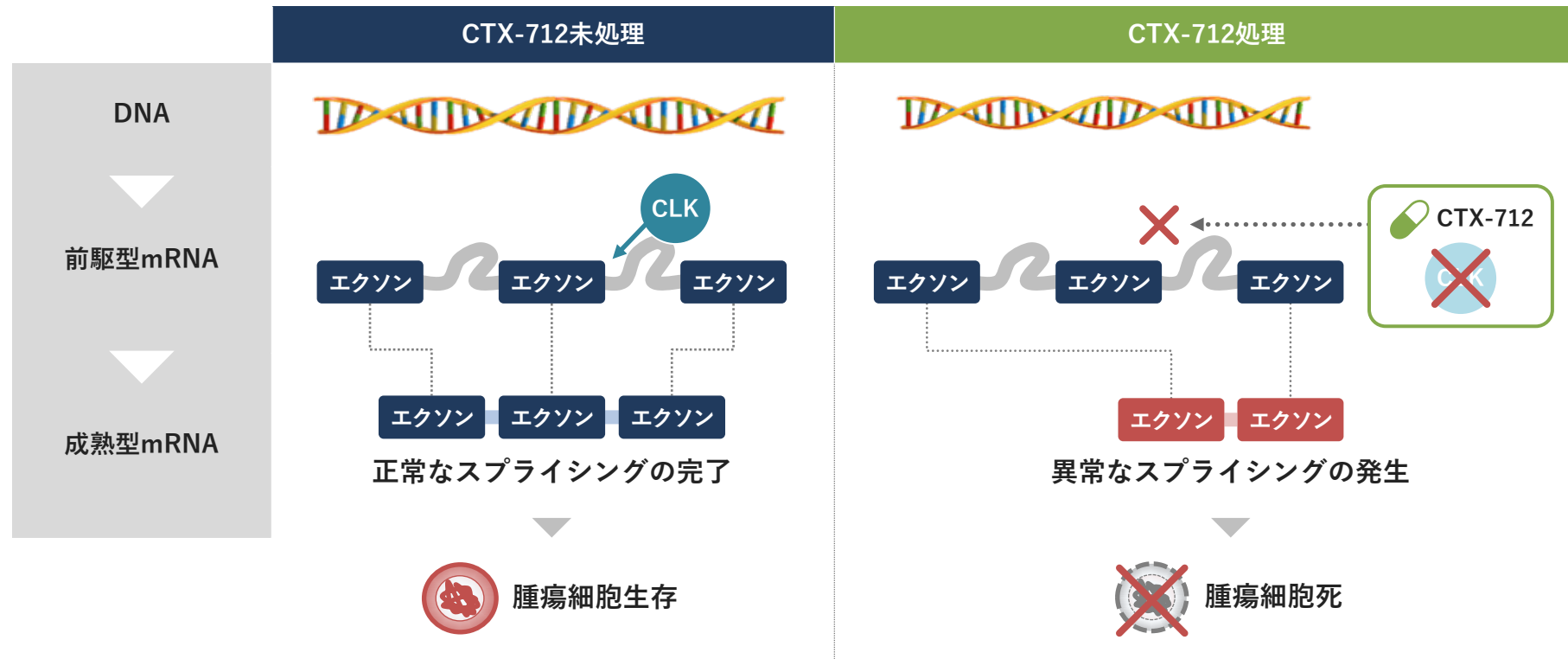
D：分解

当社パイプライン：新規パイプライン（標的非開示）

タンパク質合成の鋳型として役割を果たしたmRNAやtRNAが分解される過程。

RNA制御ストレスを増大させてがん細胞を死滅させる

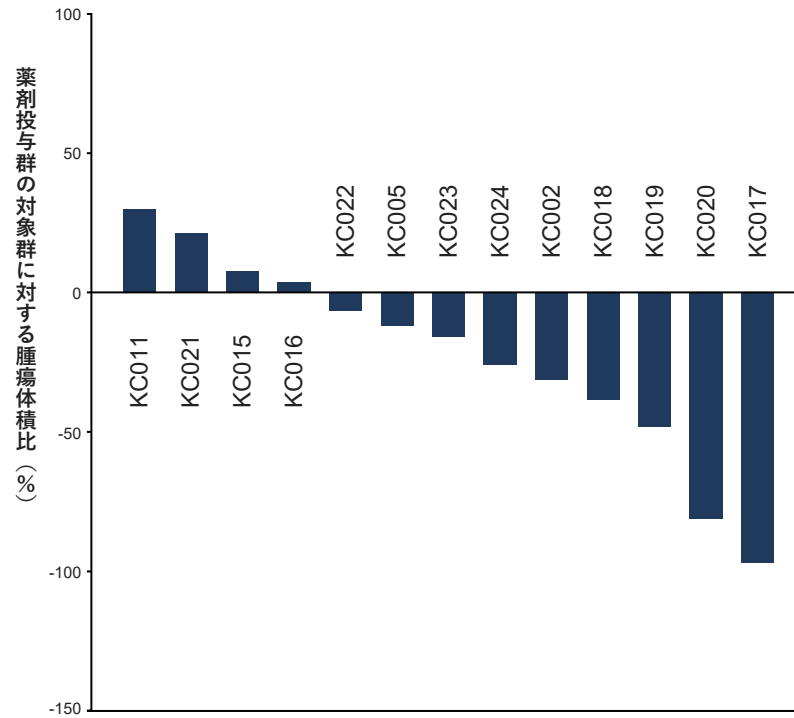
- メッセンジャーRNA生成過程において、不要な箇所を取り除く”スプライシング”が行われる
- CTX-712は異常なスプライシングを誘導することによりRNA制御ストレスを増大させがん細胞を死滅させる



複数がん種での動物モデルにおいて抗腫瘍効果が認められた

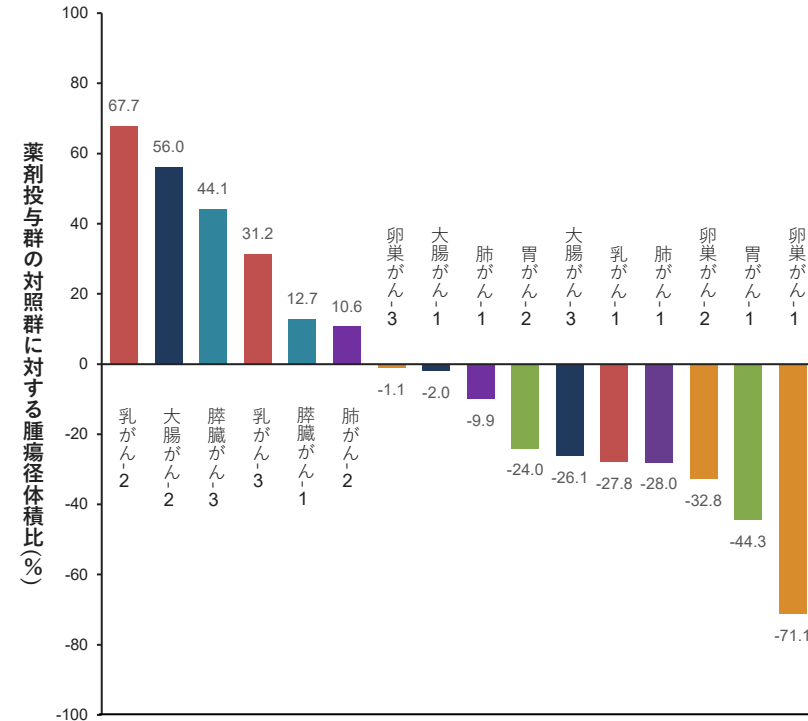
- 急性骨髄性白血病(AML) 由来のPDXモデル（患者腫瘍を直接移植した動物モデル）において腫瘍の縮小が認められた（左下図）
- 各種固形がん由来のPDXモデルにおける薬効試験では、特に卵巣がんにおいてより強い腫瘍の縮小が認められた（右下図、黄色）

AMLのPDXにおけるin vivo薬効試験結果 (KCはPDXモデル番号)



ASH 2021 edited, Yoda, Morishita, Ogawa.

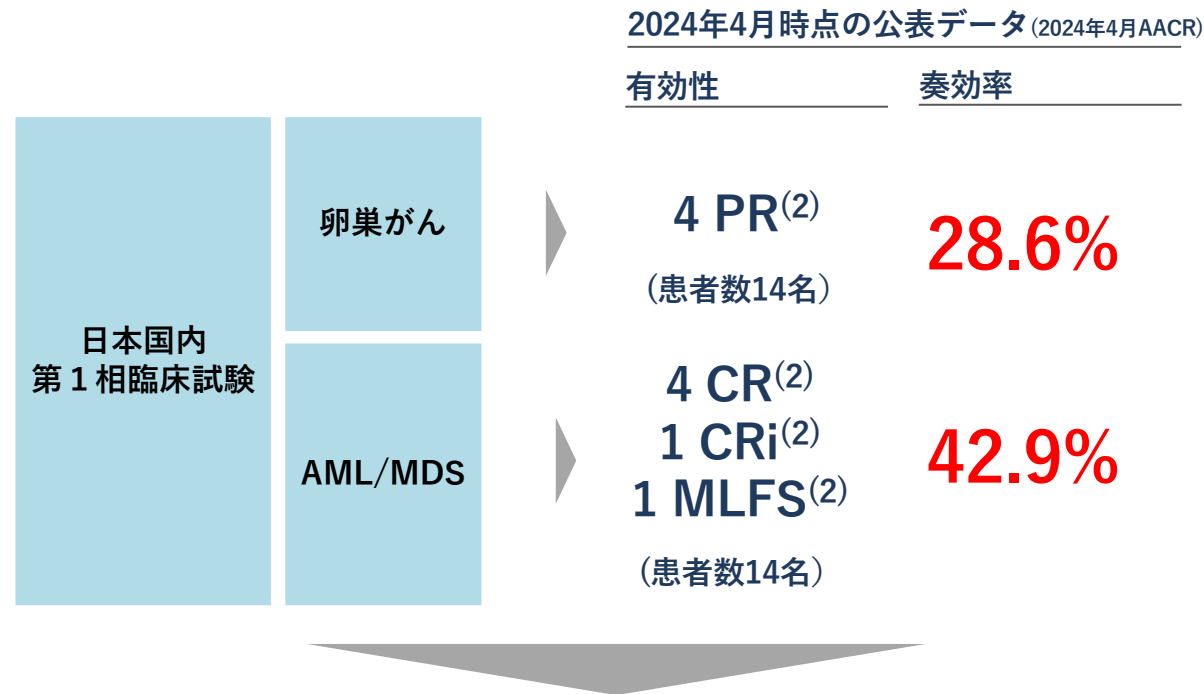
固形がん由来のPDXモデルにおけるin vivo薬効試験結果



AACR 2022, Morishita et al.

臨床試験でも前臨床と同様にAMLと卵巣がんで有効性を確認

- 標準治療が無効の再発・難治性の卵巣がん、急性骨髄性白血病（AML）、骨髄異形成症候群（MDS）が対象



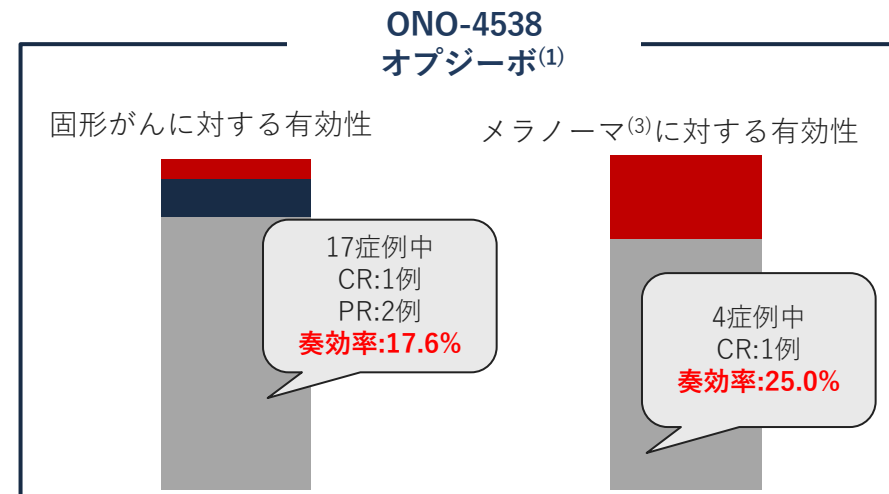
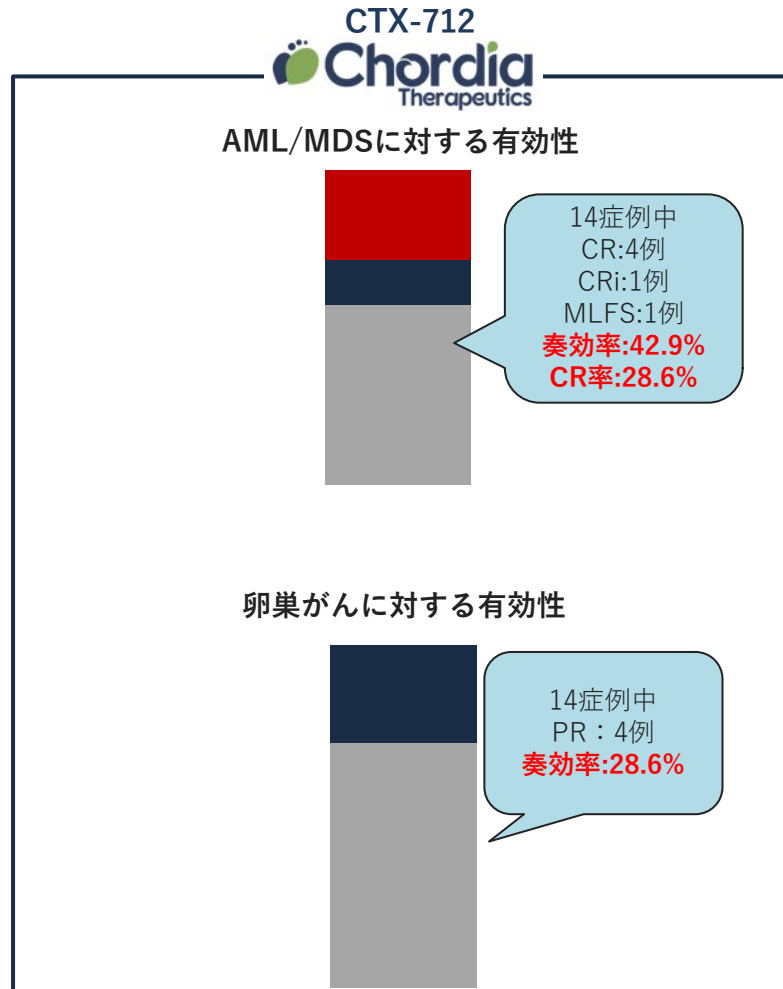
- 臨床で有効例が確認出来たAMLの2次治療以降の臨床開発に注力し、2026~2027年中の承認申請を目指し、迅速承認を狙う戦略⁽¹⁾
- 現在は米国でのAMLとMDSの第1/2相臨床試験の第1相パート実施中で、2024年2月時点で12人の患者の登録が完了

(1)上記の情報には将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見通しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。

(2)CR: Complete Remission(完全寛解)、CRi: Complete remission with incomplete hematologic recovery (好中球数または血小板数の回復不十分な形態学的寛解)、MLFS: Morphologic Leukemia Free State (形態学的無白血病状態)、PR: Partial Response (部分奏効)

第1相臨床試験での奏効率はブロックバスターに比肩し得る

●CTX-712のAML・MDS及び卵巣がんに対する有効性は、国内発のブロックバスターや承認薬の第1相臨床試験と同等水準の結果



■ : CR
■ : CR以外の奏効
■ : 奏効なし

(1) 出典：ヴァンフリタ、オブジーボのインタビューフォームを参照して、当社作成

(3)メラノーマは、オブジーボにおいて最初に承認を取った疾患領域であって、オブジーボが当初第1相臨床試験を行った疾患領域のうち最も高い有効性が示された疾患領域である

臨床試験で奏効を獲得できた疾患領域と優先する適応症

- 現時点での臨床試験の結果と疾患領域の特徴を踏まえ、急性骨髄性白血病を最初に狙う適応症として想定している

疾患領域に関連する情報

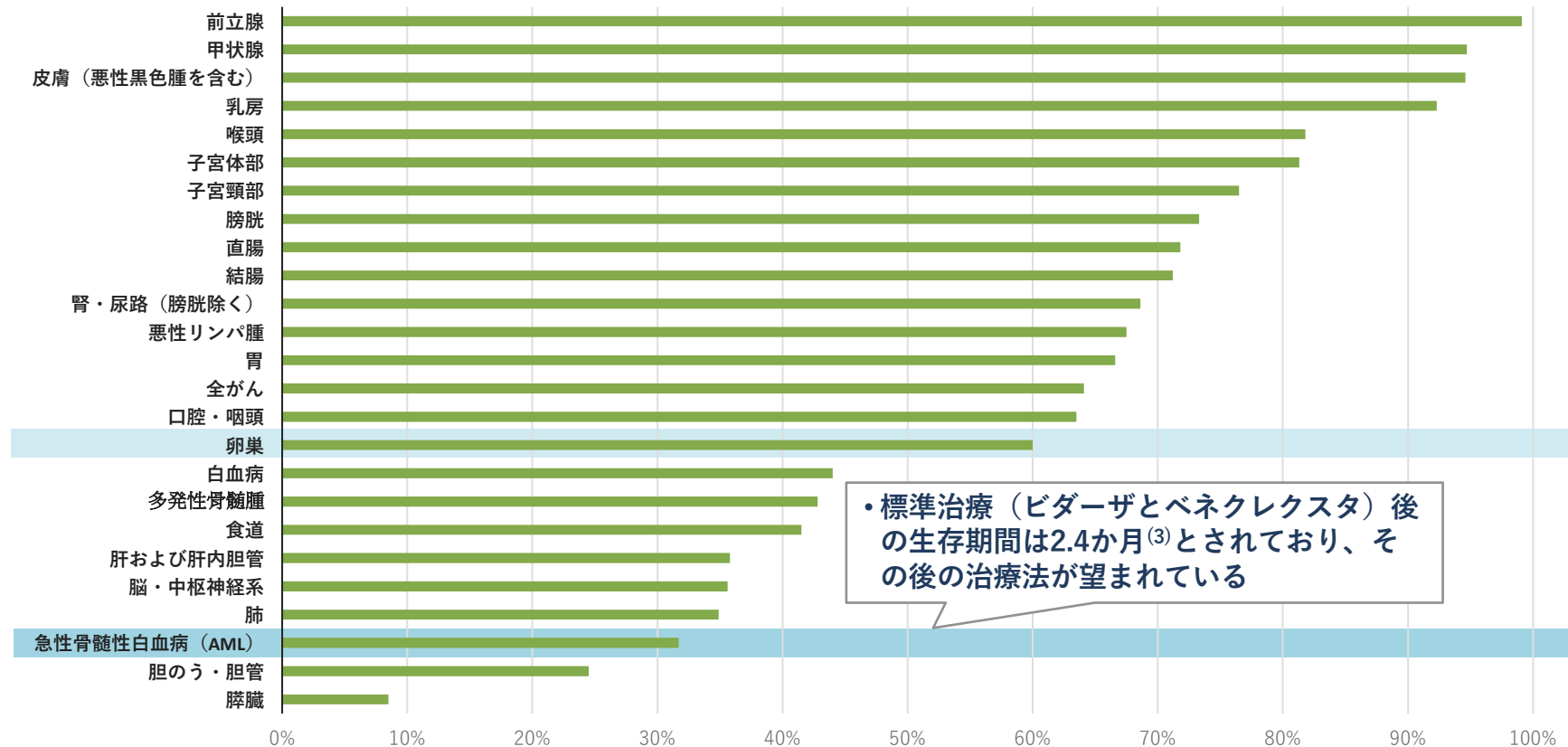
	臨床試験の中間結果	2020年時点の患者数 ¹⁾	特徴 (生存率等)	アンメットメディカルニーズ
AML	12症例中 3例のCR 1例のCri 1例のMLFS	<ul style="list-style-type: none"> 国内罹患数：約9,000人 米国罹患数：約22,000人 ヨーロッパ5か国罹患数：約13,500人 ※ヨーロッパ5か国 (英,仏,独,伊,西) 	<ul style="list-style-type: none"> 診断時年齢の中央値は68歳²⁾ 約60%が65歳以上で診断され²⁾、65歳以上の5年生存率は約9%³⁾ 再発率：30-40%²⁻³⁾ 米国に比べ日本では治療選択肢が少ない²⁴⁾ 	<ul style="list-style-type: none"> 強力な化学療法は投与回数に限られている 強力な化学療法不適患者は高齢者等を含め多く、予後不良であり、治療選択肢がさらに限られる 再発・難治性の成人AMLは急速に進行する症例が多く、治療選択肢はあるものの、標準療法といえるまでのefficacyが得られるものは存在せず⁵⁾、新しい治療法が望まれている
卵巣がん	14症例中 4例の部分奏効	<ul style="list-style-type: none"> 国内罹患数：約13,000人⁶⁾ 米国罹患数：約20,000人⁷⁾ ヨーロッパ5か国罹患数：約27,000人⁸⁾ ※ヨーロッパ5か国 (英,仏,独,伊,西) 	<ul style="list-style-type: none"> 好発年齢は40-60歳であり約60%占める¹²⁾ 初期の自覚症状は乏しく、病期がIII・IV期の進行した状態で診断される症例が40%以上を占める¹³⁾ 卵巣癌III・IV期症例の予後は不良で2011年初回治療例の5年生存率は48.2%、30.5%¹³⁾ 	<ul style="list-style-type: none"> 進行癌に対する化学療法は使用回数に限られているものが多い(初回療法はプラチナ製剤) 特にプラチナ製剤抵抗性再発では、治療選択肢はあるものの、標準療法といえるまでのefficacyが得られるものは存在せず、更なる治療法の開発が求められている。
MDS	2症例中 1例のCR	<ul style="list-style-type: none"> 国内罹患数：約16,000人 米国罹患数：約34,000人 ヨーロッパ5か国罹患数：約36,000人 ※ヨーロッパ5か国 (英,仏,独,伊,西) 	<ul style="list-style-type: none"> 診断時年齢の中央値：約77歳⁸⁾ 5年生存率：約37%⁹⁾ 再発率：15-30%¹⁰⁾ 	<ul style="list-style-type: none"> 約20-40%の患者は急性骨髄性白血病(AML)に移行し、予後不良である 再発・難治性のMDSには標準療法が存在せず¹¹⁾、新しい治療法が望まれている

1)GlobalData Forecast to 2029 (June 2020), 2) National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program _ Leukemia — Acute Myeloid Leukemia (AML) (2019年), 3)Survival Rates and Outlook for Acute Myeloid Leukemia (AML) Updated on April 7, 2022, 4)造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版補訂版, 5) AML PDQ 2023/01/18, 6) 国立がん研究センターがん情報サービス「がん統計」(全国がん登録) 全国がん罹患データ (2016年~2019年), 7)National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program (2019年), 8) NCCN Guidelines® Insights: Myelodysplastic Syndromes, Version 3.2022 JNCCN vol 20, issue 2 February 2022, 9)Diagnosis and Treatment of Myelodysplastic Syndromes: A Review JAMA 2022 Sep 6;328(9):872-880, 10)CancerMPact® Treatment Architecture MDS, U.S. Published August 2022, Based on fieldwork conducted July 2022, 11) MDS PDQ 2023/09/30, 12)国立がん研究センターがん情報サービス「がん統計」(全国がん登録) 全国がん罹患データ (2016年~2019年), 13) 1)卵巣がん・卵管癌・腹膜癌治療ガイドライン2020年版 日本婦人科腫瘍学会 (2020年8月30日発行),

予後不良のAMLや卵巣がんを先行させてCTX-712を開発中

- 急性骨髄性白血病（AML）や卵巣がんの5年相対生存率は低く、アンメットメディカルニーズは高い

5年生存率



(1) AML以外の5年相対生存率は、公益財団法人 がん研究振興財団 がんの統計2023より

(2) AMLの5年相対生存率は、National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program _Leukemia より

(3) Abhishek Maitiらの報告 (Haematologica. 2021 Mar 1; 106(3): 894-898.)

国内で承認されたAML新規承認薬と比べても比肩し得る

●CTX-712の第1相試験の中間結果での有効性は、既存承認薬での過去の第1相臨床試験の有効性と同等の水準

製品名 (会社名)	ゾスパタ (アステラス製薬)	ヴァンフリタ (第一三共)	ベネクレクスタ (Abbvie)	CTX-712 (当社)
試験名	国内第1相試験 (CL-0102)	国内第1相試験 (AC220-A-J101)	国内第1相試験 (M13-834)	国内第1相試験 (CL-01)
療法	単剤	単剤	アザシチジンとの併用	単剤
組入対象	再発または治療抵抗性 AML患者	再発または治療抵抗性 AML患者	再発/難治性及び強力な寛解導入療法 の適応とならない未治療AML	再発または難治性AML患者 およびMDS患者
有効性 解析対象数	19例 (FLT3変異は5例)	16例 (FLT3変異は7例)	6例 (未治療は5例)	14例
有効性	<ul style="list-style-type: none"> • CRc(CR,CRi,またはCRp)⁽¹⁾が7例 (29%) • FLT3遺伝子変異陽性患者5例のうち3例でCRcを達成(60%) 	<ul style="list-style-type: none"> • CRc(CR,CRi,またはCRp)⁽¹⁾が6例 (38%) • CRi : 5例 • CRp : 1例 	<ul style="list-style-type: none"> • CRc(CR,CRi,またはCRp)⁽¹⁾が5例 (83%) • CR : 3例 • CRi : 2例 	<ul style="list-style-type: none"> • CRc(CR,CRi,またはCRp)⁽¹⁾が5例 (35%) • CR : 4例 • CRi : 1例

上記の表は様々な研究に関する公表結果の要約であり、関連する研究結果の完全な記述を意図するものではなく、すべての関連する研究結果を含むものでもありません。詳細については、出典に記載されている論文等の公表資料を参照してください。これらの臨床試験は治験デザインや評価項目がそれぞれ異なるため、相互に比較可能ではありません。また、当社の開発するプログラムと他の製品または製品候補とを直接比較した研究はなく、上記に要約された研究結果は、当社の開発するプログラムのために実施された研究と比較可能ではありません。

出典：ゾスパタ、ヴァンフリタ、ベネクレクスタのインタビューフォームおよびJapan Journal of Clinical Oncology 2021 51(6)857-864を参照して、当社作成

(1) CRc: Composite Complete Remission (複合完全寛解)、CR: Complete Remission(完全寛解)、CRi: Complete remission with incomplete count recovery (好中球数の回復不十分な形態学的寛解)、CRp: Complete Remission with incomplete platelet recovery (血小板未回復の完全寛解)

エキスパートからの高い評価を受けて日米での早期承認計画を目指す

- CITELINE社による第三者に対するインタビュー形式の調査にて、CTX-712の潜在的な安全性、有効性及び承認可能性に係るプロファイルについて米国およびヨーロッパの一部の国の第三者回答者から高い評価を複数確認
- 第三者回答者からは各々の国で承認申請がなされたと仮定した場合の迅速承認の可能性を示唆するコメントも確認

Efficacy に関するコメント

一部の回答者は、CTX-712が幅広い患者層において延命効果を示す可能性があると考えています

- 50%の完全奏効率は驚くほど高く、ほとんど見たことがない、単剤ではなおさらである - KOL 2
- 患者数は少ないが、2年も効果が続くとてもよく反応する患者がいることは明らかだ - KOL 2

Safety に関するコメント

一部の回答者は、CTX-712は忍容性があり、その副作用は医師により対処可能であると述べています

- 安全性の結果は、CTX-712の安全性は十分に対処可能であることを示している - Expert 1
- 総論として、CTX-712の忍容性は十分のように見える - KOL 2
- 安全性は、大きくまとめると良好である印象である。 - KOL 4

Approval に関するコメント（各回答者の自国において承認申請がなされたと仮定した場合）

一部の回答者は、CTX-712は第2相臨床試験に向けて有望であり、条件付き承認の可能性もあり得ると述べています

<迅速承認について>

- 十分な量のポジティブな結果が、特に医学的ニーズが満たされていない患者群において示される場合は、第2相臨床試験の結果で条件付き承認が得られるかもしれない - Expert 1
- CTX-712は第2相程度の試験結果で承認可能性があると思う、特に今示されている奏効率が再現された場合には - KOL 2
- CTX-712が条件付き承認されても私は驚かない - KOL 3

<第2相臨床試験について>

- 第2相臨床試験が成功する可能性は十分にあるので、第2相臨床試験を実施する理由がある - KOL 1
- 明らかに、CTX-712の高い奏効率と安全性は、第2相臨床試験の成功の可能性を示唆している - KOL 3
- 完全に、疑うことなく、第2相臨床試験に期待する根拠がある。より弱い薬効で第2相臨床試験に進んだ薬剤を見てきた - KOL 4

<将来の方向性>

- 後治療で薬効を示した場合は、より早いラインでの使用を検討することはとても自然なことである - KOL 2
- CTX-712が進行性の急性骨髄性白血病の後治療で薬効を示した場合は、より早いラインでの使用が検討されるべきである - KOL 4

AMLでは複数の新薬がPhase2で承認を受けている

- 直近で承認された8つの承認薬のうち6つがPhase2のステージにて承認を受けている

ステータス	Line	ターゲット	薬剤名（開発名）	開発会社	FDA Approval		
					承認タイミング	承認時でのステージ	指定
承認済み	1st line	BCL-2	VENCLEXTA (venetclax)	AbbVie	2018	Phase 2	Breakthrough Therapy
		SMO	DAURISMO (glasdesib)	Pfizer	2018	Phase 2	Priority review policy
			RYDAPT (midastaurin)	Novartis	2017	Phase 3	Breakthrough Therapy
	2nd 以降	FLT3	XOSPATA (giltertinib)	Astellas	2018	Phase 3 (Top line)	Orphan Drug Fast track
			VANFLYTA (quizartinib)	Daiichi Sankyo	2019 (Japan Only)	Phase 3	Orphan Drug Fast track
		IDH1	TIBOSOVO (ivosidenib)	Start up 企業 Agius Pharma (Acquired by Servier.)	2019	Phase 2	Fast track
		IDH2	IDHIFA (enasidenib)	Agius Pharm. (Licensed out to BMS)	2017	Phase 2	Orphan Drug Priority review policy
		CD33	MYLOTARG (gemtuzumab ozaogamicin)	Pfizer	2020	Phase 2	Accelerated drug approval program

出典：ClinicalTrials.govを参照として当社により作成

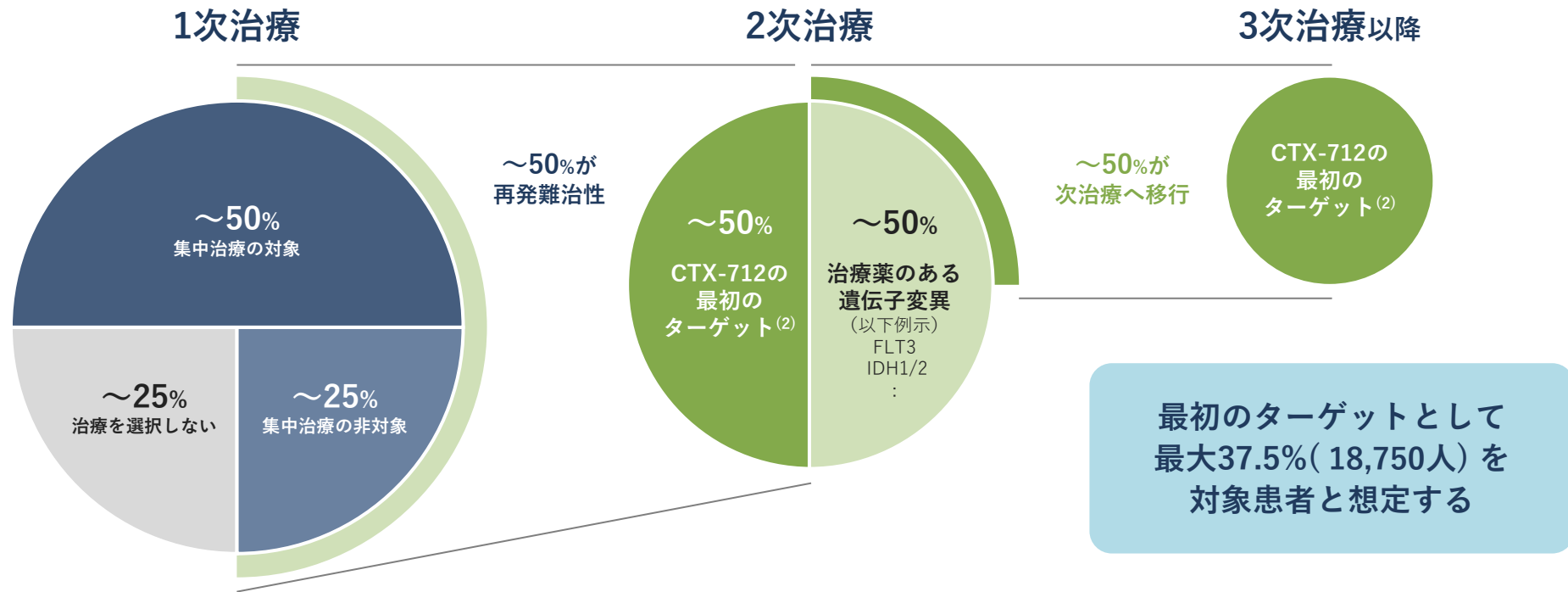
治療選択肢が限られるAMLの2次治療以降で開発中

- 医療ニーズが高い再発難治性のAML患者18,750人が最初のターゲット

AML(急性骨髄性白血病),

~5万人 AMLの患者 (US, フランス, ドイツ, イタリア, スペイン, イギリス, 日本)⁽¹⁾

● : CTX-712の最初のターゲットと想定する患者層



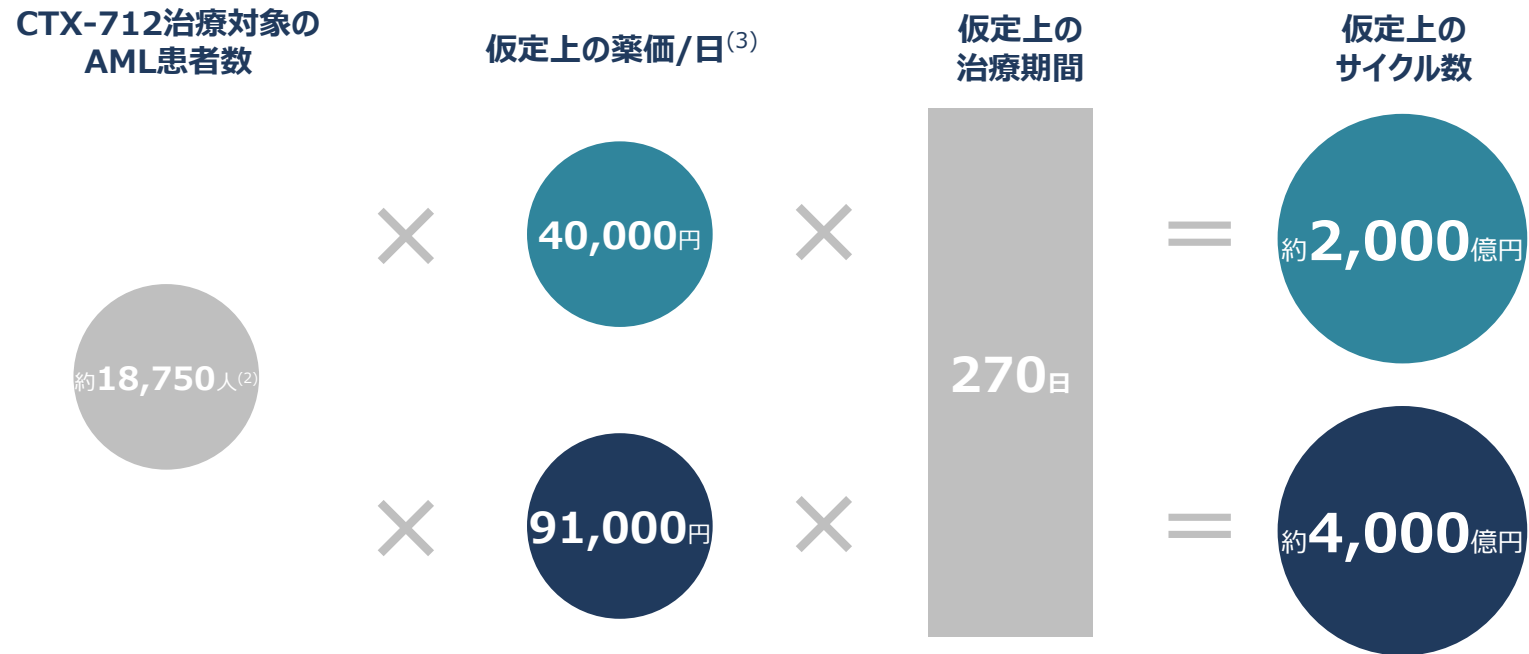
(1) Global Data AML epidemiology forecast to 2029を基にした当社概算(Global Data 2020)

(2) 当社は、一次治療 (1st line therapy) に関わらず、AML患者のおおよそ50%までが二次治療 (2nd line therapy) を受け、治療薬のある遺伝子変異 (FLT3, IDH1, IDH2等) を持たない二次以降の治療 (2nd line therapy~) の患者のおおよそ50%までがCTX-712の潜在的な対象となり、3次治療以降を必要とする患者を対象として見積もっている。

AML 2次治療以降での市場規模は2,000億円以上

- CTX-712は、アンメットメディカルニーズの高い、AMLの2次治療以降を最初の対象として想定し、当該適用の市場規模として2000億円以上が期待しうると考える⁽¹⁾

AML 2次治療以降における潜在的市場規模の推定⁽¹⁾



(1) AML 2nd LineとしてのCTX-712の潜在的な市場規模(Serviceable Available Market)を推計するためのイメージであり、当社グループが2024年4月現在で営む事業に係る客観的な市場規模を示すものではない。また、本スライドに記載の数字は、外部の調査資料等を参照して当社が推計したものであり、その正確性にはかかる調査資料等や推計に固有の限界があるため、上記の推計と実際の市場規模とは大きく異なる可能性がある

(2) P28資料を参照。ただし、患者数はGlobal Data 2020における2029年時点の推定患者数を採用

(3) Global Data 2020より、Venclextaの日独米の平均薬価285.68\$／日、およびXospataの日独米の平均薬価653.47\$／日(1\$を140円で換算)

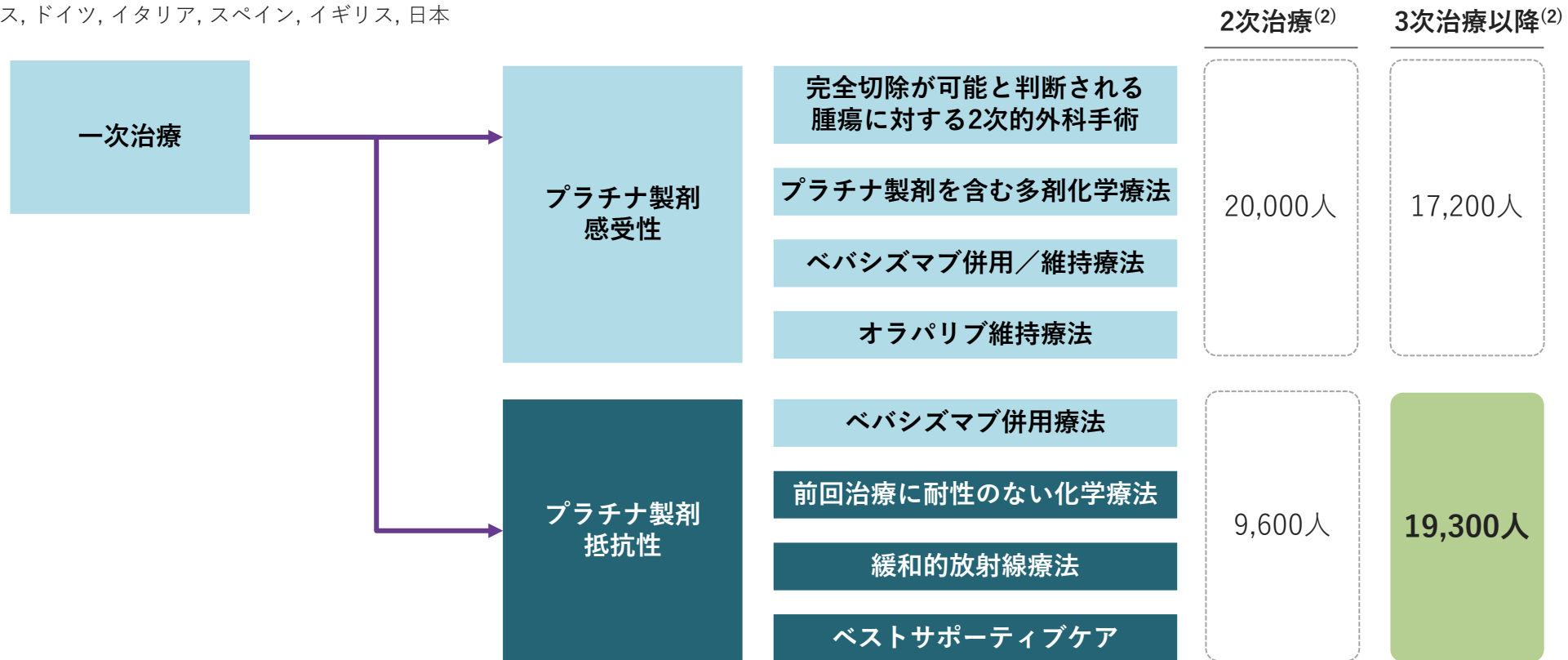
(4) Xospataの国際共同第Ⅲ相試験における生存期間の中央値である9.3か月を参考に当社が推定

プラチナ製剤抵抗性の卵巣がんは治療選択肢が少ない疾患

●卵巣がんにおいては、再発難治性のプラチナ抵抗性の3次治療以降の対症療法が限定的な患者を最初のターゲットと想定

卵巣がんの2次治療以降の治療体系⁽¹⁾

～US, フランス, ドイツ, イタリア, スペイン, イギリス, 日本



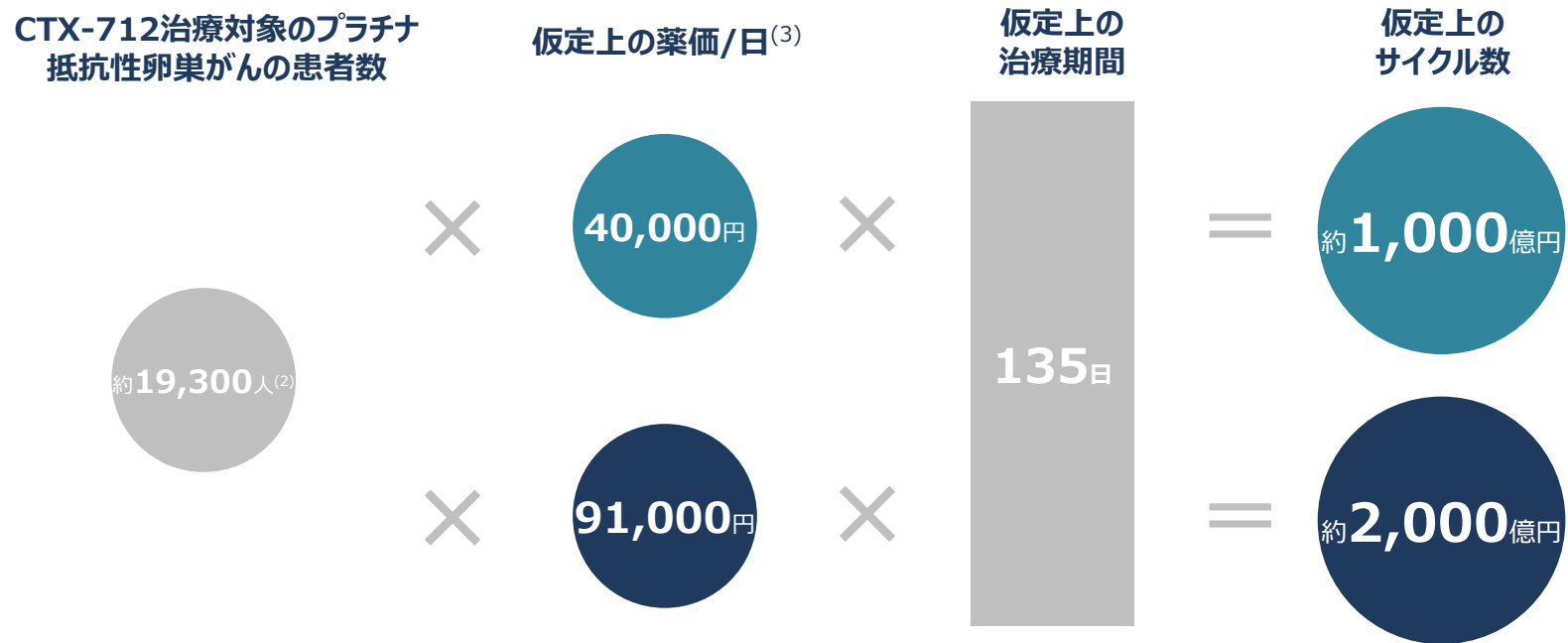
(1) 卵巣がん・卵管癌・腹膜癌治療ガイドライン2020年版 | 公益社団法人 日本婦人科腫瘍学会 (jsgo.or.jp)

(2) 2019年Global Dataより、2028年時点より引用。ただし、プラチナ製剤抵抗性の3rd Lineについては、3rd Line, 4th Line, 4th Line Switch Overの合計としている

プラチナ製剤抵抗性卵巣がん治療薬の潜在市場規模は1,000億円以上

- アンメットメディカルニーズの高い再発難治性のプラチナ抵抗性の卵巣がん3次治療以降を対象とする

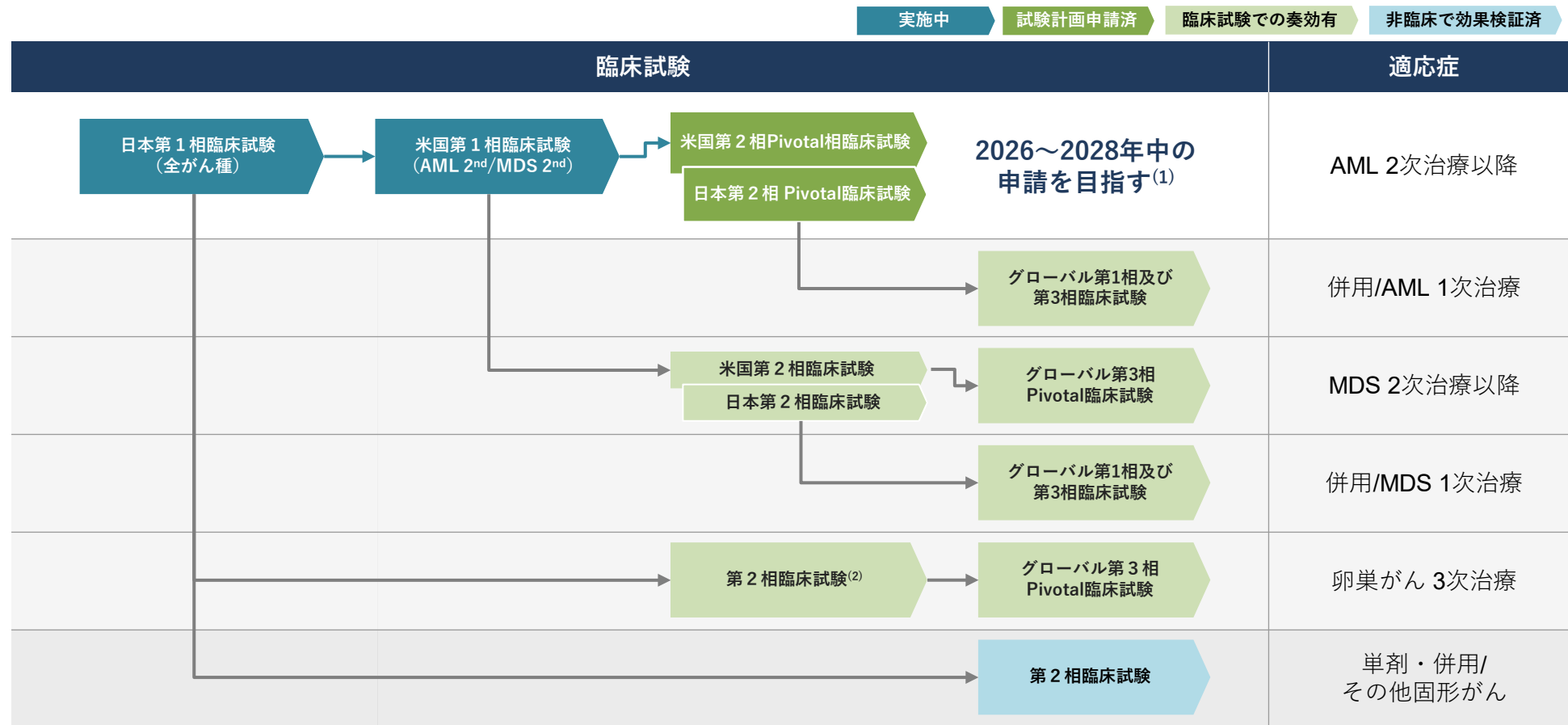
卵巣がんプラチナ製剤抵抗性 3次治療以降における潜在的市場規模の推定⁽¹⁾



- (1) プラチナ製剤抵抗性卵巣がん治療薬としてのCTX-712の将来の潜在的な市場規模(Serviceable Available Market)を推計するためのイメージであり、当社グループが2024年4月現在で営む事業に係る客観的な市場規模を示すものではない。また、本スライドに記載の数字は、外部の調査資料等を参照して当社が推計したものであり、その正確性にはかかる調査資料等や推計に固有の限界があるため、上記の推計と実際の市場規模とは大きく異なる可能性がある
- (2) P30資料を参照。患者数はGlobal Data 2019における 3rd Line、4th Lineおよび 4th Line Switch over 2028年時点の推定患者数を採用
- (3) AMLでの承認を先に想定するため、AMLでの想定薬価を参照
- (4) 化学療法での3次治療および4次治療以降の平均治療期間より算出 (Global Data 2019)

適応拡大で製品価値の最大化を目指す

- 現時点では、臨床での有効例が確認出来たAMLの2次治療以降の臨床開発に注力し、迅速承認を狙う戦略を取る。AMLの1次治療や他がん種の適応拡大を順次進めることで価値最大化を目指す。



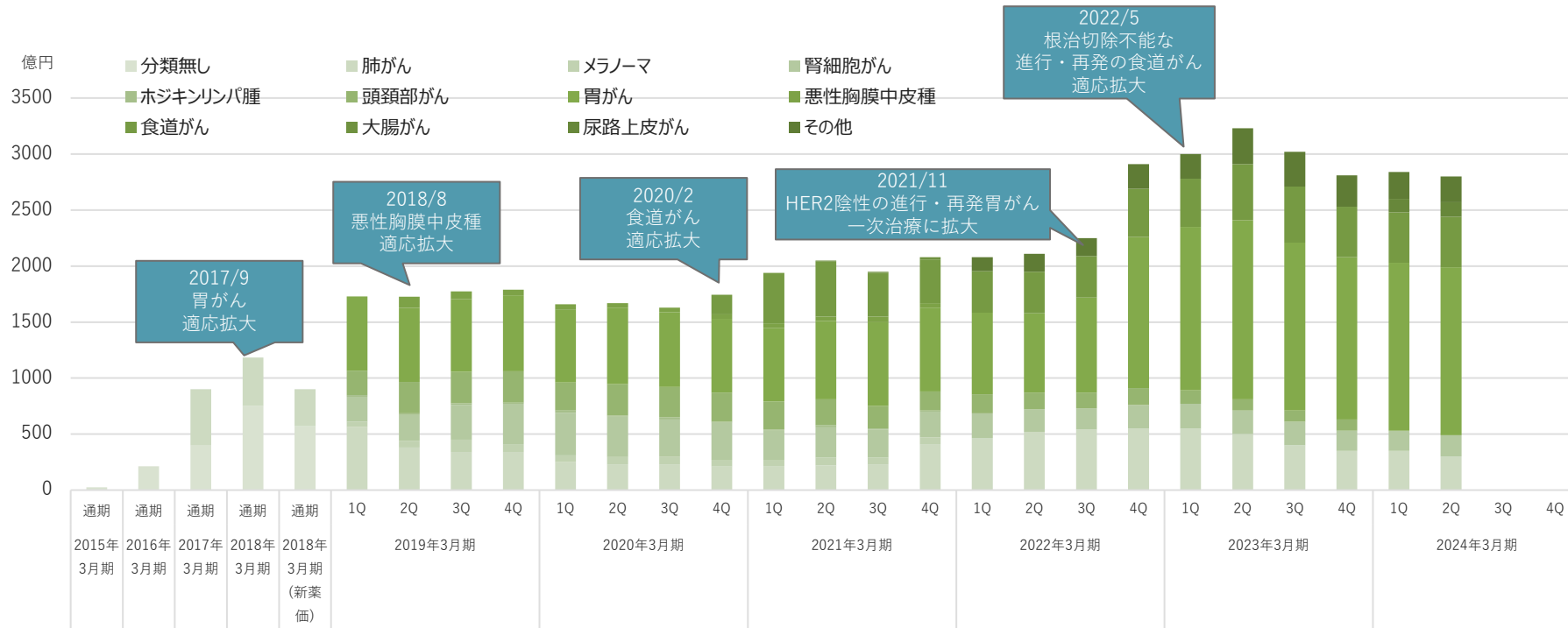
(1)上記の情報は将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見通しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。

(2)当該部分は日本でのPivotal臨床試験になりうる可能性もあると当社では想定している

抗がん薬の適応拡大イメージ

- オプジーボはがんの特徴の一つである免疫系からの回避に対する抗がん薬
- CTX-712も同様にがんの特徴の一つであるRNA制御ストレスに着目しており、オプジーボと同様に適応拡大のポテンシャルは大きいと当社は想定する

オプジーボ 売上高推移



競争環境_CLK

CLK阻害薬を開発している競合他社（当社の見解）、2024年4月10日時点

薬剤標的分子	パイプライン名	企業名	臨床開発のステージ
CLK	Cirtuvivint (SM08502)	Biosplice	第1相臨床試験
CLK	—	Redona Therapeutics	前臨床試験
CLK	—	BlossomHills Therapeutics	前臨床試験

Biosplice社とCirtuvivintの概要

- Biosplice社 (元Sammed社) は加州サンディエゴに拠点を持つ臨床ステージのバイオ企業で、複数のCLKプログラムをがん、神経疾患、筋骨格系の疾患適応で検討しています。(1)
- Biosplice社はCirtuvivintの第1相臨床試験のデータを2022年のESMOで発表しました。Cirtuvivint単剤の投与で、6名の患者で10%以上の腫瘍サイズの縮小が認められましたが、部分/完全奏功となった症例はいませんでした。(2)
- Cirtuvivintを標準薬と併用して投与するPh1b試験が去勢抵抗性の前立腺がん、大腸がん、肺がんで実施中であることが公表されています (CT05084859)。(3)

Redona Therapeutics社の概要

- Redona Therapeutics社(元Twentyeight-Seven社)はマサチューセッツ州ウォータータウンに拠点を持つ前臨床ステージのバイオ企業で、MPM Capital、Longwood Fund、Novartis Venture fund、J&J Innovation、Vertex Ventures、Astellas Venture Managementからの出資を受けています。(4)
- Redona社の会社HP (<https://redonatx.com/pipeline/>)の情報によると、彼らのリードプログラムはCLK阻害薬であり、現在、臨床候補化合物の選択を行っています。

BlossomHills Therapeutics社の概要

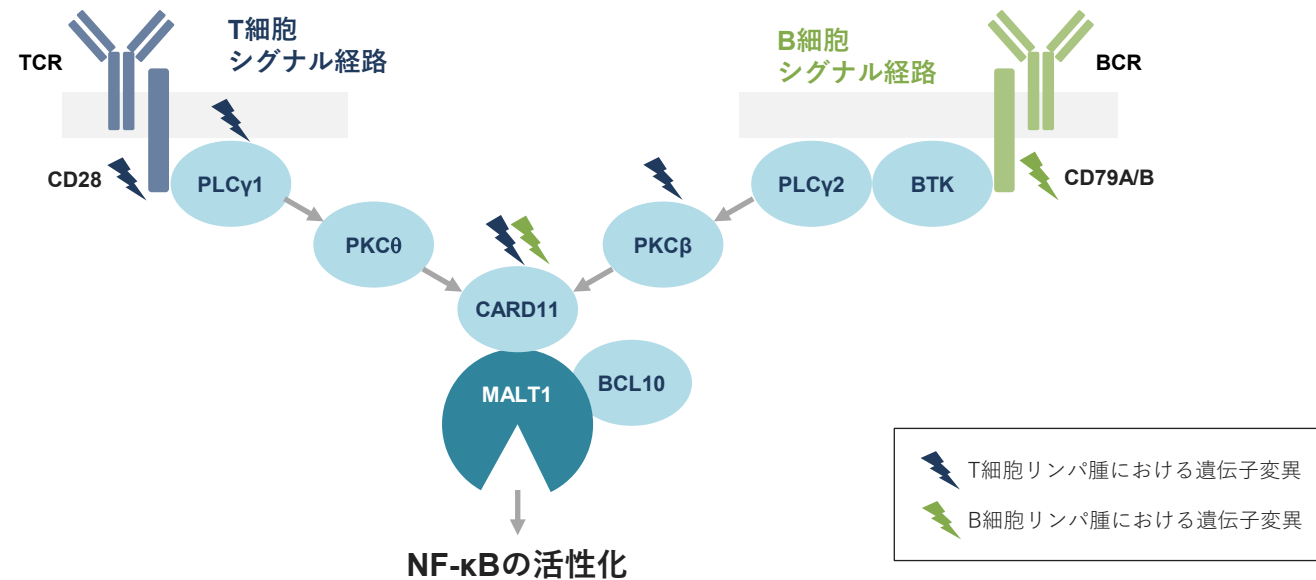
- BlossomHills Therapeutics社はカリフォルニア州サンディエゴに拠点を持つ前臨床ステージの低分子にフォーカスしたバイオテック企業で、Cormorant Asset Management、OrbiMed、Vivo Capital、Hercules BioVentures Partners LLC、COLT Ventures等から合計\$174Mの出資を受けています。

(1) Biosplice社HPより、(2) ESMO 2022, #4510, (3) Clinical.gov, (4) 2018年9月6日付Redona社のニュースリリースより、(5) 2024年2月付けBlossomHills社ニュースリリースより

Mucosa Associated Lymphoid Tissue protein 1(MALT1) 阻害薬(1)

作用機序

- MALT1は転写因子NF- κ Bを活性化します。難治性リンパ腫においては、T細胞シグナルあるいはB細胞シグナル伝達経路の因子（T細胞受容体CD28、B細胞受容体CD79A/B、PLC γ 1、PKC β 、CARD11）にシグナルを活性化する遺伝子変異が起こり、そのシグナルがBTKやMALT1を経由してNF- κ Bの活性化が引き起こされ、リンパ腫が異常に増殖しています



対象疾患 と特徴

- MALT1は転写因子NF- κ Bを活性化します。難治性リンパ腫においては、T細胞シグナルあるいはB細胞シグナル伝達経路の因子（T細胞受容体CD28、B細胞受容体CD79A/B、PLC γ 1、PKC β 、CARD11）にシグナルを活性化する遺伝子変異が起こり、そのシグナルがBTKやMALT1を経由してNF- κ Bの活性化が引き起こされ、リンパ腫が異常に増殖しています

*イメージを示すためのみのものです。当社作成

(1) RNA制御ストレスとは関連しない

(2) 出典: J Clin Invest. 2018 Oct 1;128(10):4397-4412. / Clin Cancer Res. 2013 Dec 15;19(24):6662-8

競争環境

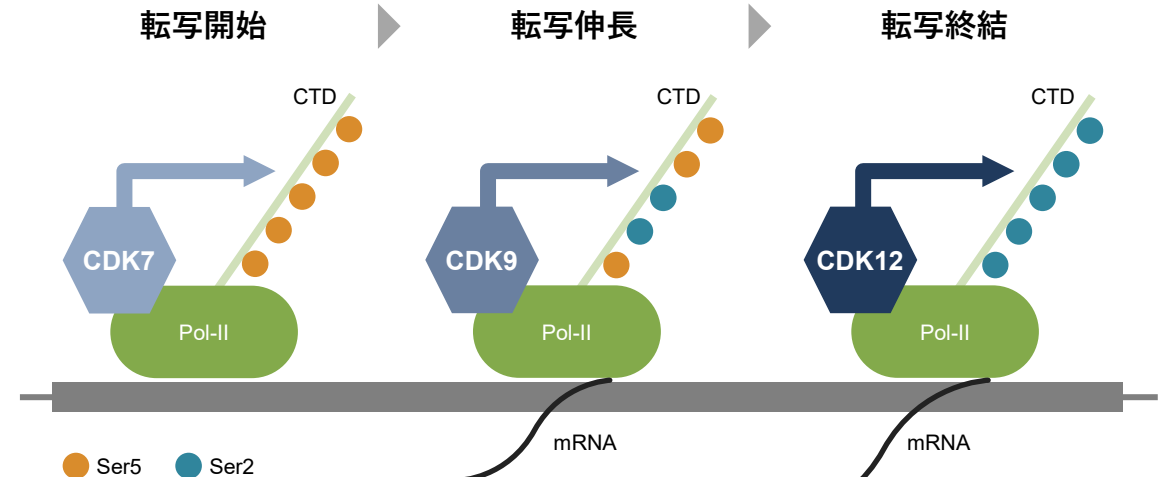
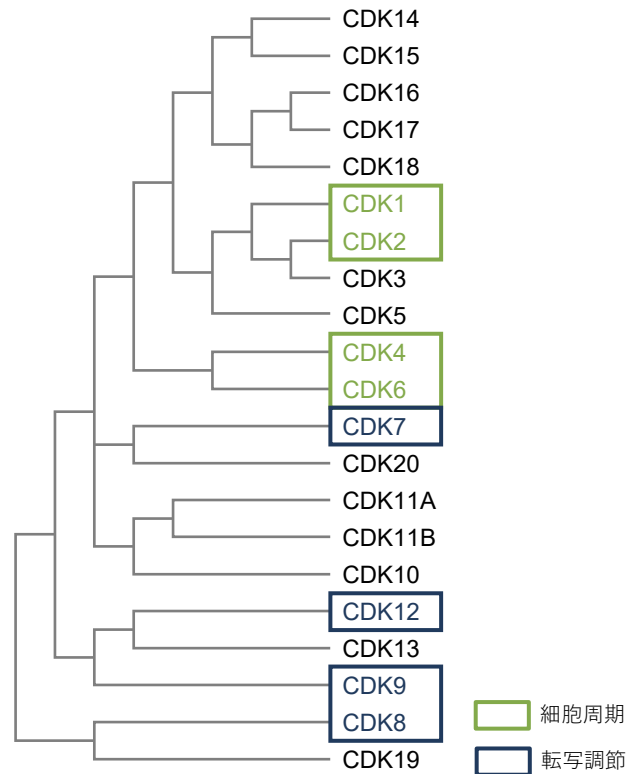
MALT1阻害薬における競合他社（当社の見解） 2024年3月6日時点

パイプライン	治験実施機関	ステージ (開始時期)	対象となる疾患	その他	URL (ClinicalTrials.gov) *SGR-1505以外
Safimaltib (JNJ-67856633)	Janssen Research & Development, LLC	第1相臨床試験 (2019/04/03~)	非ホジキンリンパ腫 および 慢性リンパ性白血病	単剤	A Study of JNJ-67856633 in Participants With Non-Hodgkin's Lymphoma (NHL) and Chronic Lymphocytic Leukemia (CLL) - Full Text View - ClinicalTrials.gov
Safimaltib (JNJ-67856633)	Janssen Research & Development, LLC	第1相臨床試験 (2021/07/28~)	非ホジキンリンパ腫 および 慢性リンパ性白血病	Ibrutinib (JNJ-54179060) との併用	A Study of the MALT1 Inhibitor JNJ-67856633 and Ibrutinib in Combination in B-cell NHL and CLL - Full Text View - ClinicalTrials.gov
SGR-1505	Schrödinger	第1相臨床試験 (2023/04/10~)	成熟B細胞性リンパ腫	単剤	Study of SGR-1505 in Mature B-Cell Neoplasms - Full Text View - ClinicalTrials.gov
ABBV-525	AbbVie	第1相臨床試験 (2023/04/04~)	B細胞性リンパ腫	単剤	Study Details Study to Evaluate Adverse Events and Change in Disease Activity in Adult Participants With B-Cell Malignancies Receiving Oral ABBV-525 Tablets ClinicalTrials.gov

Cyclin Dependent Kinase 12(CDK12)キナーゼ阻害薬

作用機序

- プロテインキナーゼであるCDKファミリー分子群は、細胞周期（緑）およびmRNAの転写調節（青）における役割を担います。（左図）CDK12はRNAポリメラーゼIIによるmRNAの転写を調節しています。（右図）
- CTX-439は、CDK12を阻害することによってRNAポリメラーゼIIによるmRNAの転写を抑制します。このmRNAの転写の抑制により異常なmRNAが蓄積し、細胞に負荷がかかります。もそも、がん細胞には過剰に負荷がかかっているためCDK12阻害による追加の負荷に耐えられず、正常細胞に比べてがん細胞が選択的に死滅すると考えています。



*イメージを示すためのみのものです。当社作成
 出典：Nat Chem Biol. 2016 Oct;12(10):876-84. / Cancer Cell. 2019 Nov 11;36(5):545-558.e7.

競争環境

CDK12阻害薬における競合他社（当社の見解） 2024年3月6日時点

パイプライン名	開発機関	開発ステージ	薬剤標的
CT7439	Carrick Therapeutics, UK	FDAによるIND認可取得	CDK12/13
ISM-6466A	InSilico Medicine, Hong Kong	前臨床	CDK12/13
AU-15506, AU-16770	Aurigene Oncology, India	前臨床	CDK12/13
OKI-1546	Onkure Therapeutics, USA	前臨床	CDK12/13

アジェンダ

1. 事業概要
2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
3. パイプラインの特徴
4. 事業計画

Appendix.

長期的な成長モデル

- CTX-712およびCTX-177に加えて、戦略的パートナーシップならびに現在および将来のパイプラインを活用した日本での製造および販売の機能を保有する計画などが、長期的な成長ドライバーとなりうると考える

長期での成長ドライバー

科学的機能およびビジョンに由来

+

将来生み出せるパイプライン

中長期の成長ドライバー

前臨床試験および
臨床試験の結果に由来

+

現在のパイプライン(CTX-439, GCN2,,)

+

CTX-712の他の疾患
1st ラインの AML, MDS, 卵巣がんなど

次の成長機会

戦略的な提携

+

日本での製造および販売

Commercial

現状

ライセンス導出実績と
臨床試験での結果

+

CTX-712
再発難治性のAML

CTX-177

当面の研究開発活動は、CTX-712の米国1/2相試験に注力する見込みであり、そのための資金は上場時ファイナンスで確保できる見込み。また、他の自社パイプラインについては、上場後新たな資金を確保するまで多額の投資は行わず、新たなフェーズへの進捗はない見込み。なお、状況によっては早期導出も視野に入れ交渉を行う計画である。

想定される事業収益の類型

- 現時点ではライセンスの一時金および開発マイルストーンについて受領実績あり。その他の収入形態は、事業開発の進捗に応じて受領をすることを想定する

収入形態	内容	現状
ライセンスの一時金	<ul style="list-style-type: none">ライセンス契約を行った際に独占的な権利をパートナーに付与する対価として得られる一時金収入	受領実績あり (小野薬品工業/CTX-177)
ライセンスの開発マイルストーン	<ul style="list-style-type: none">ライセンス契約を行ったパイプラインの開発進捗に応じて設定したいくつかの目標を達成する毎に一時金として得られる収入。臨床試験段階での開発マイルストーンについては、目標間の期間は数年程度と想定する	受領実績あり (小野薬品工業/CTX-177)
ライセンスの販売マイルストーン	<ul style="list-style-type: none">ライセンス契約を行った際に設置した目標達成に応じて受領する収入	受領するための契約締結済み (小野薬品工業/CTX-177)
ライセンスのロイヤリティ	<ul style="list-style-type: none">製品が上市後に、その売上からあらかじめ定められた一定割合を受領する収入。	受領するための契約締結済み (小野薬品工業/CTX-177)

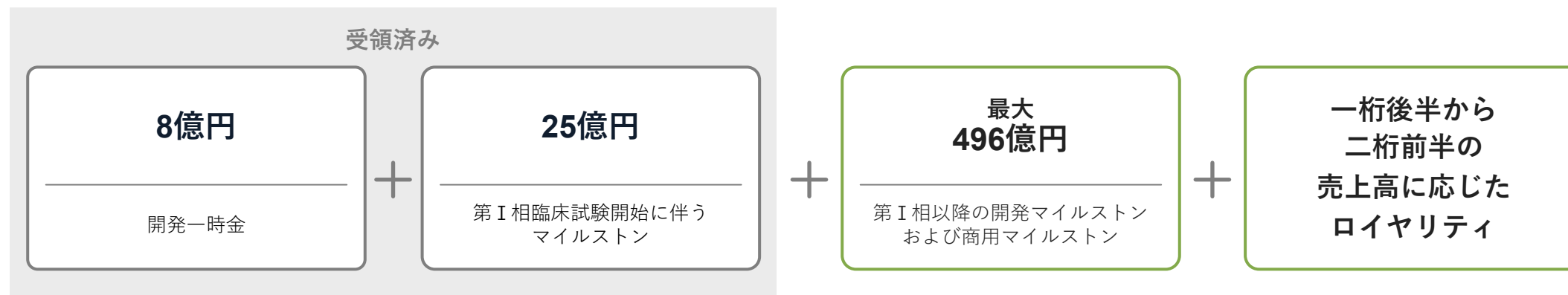
*現時点では自社で製品を販売する意思決定は行われていないため、計画上で想定される「製品の販売収入」については表中に記載されていない。

ライセンス契約に関連して想定する収入形態の当社事例

- 小野薬品工業とはライセンス契約は、既に33億円を受領したことに加え、将来の収入形態として期待し得る

2020年12月

CTX-177に関する包括的なライセンス契約の締結



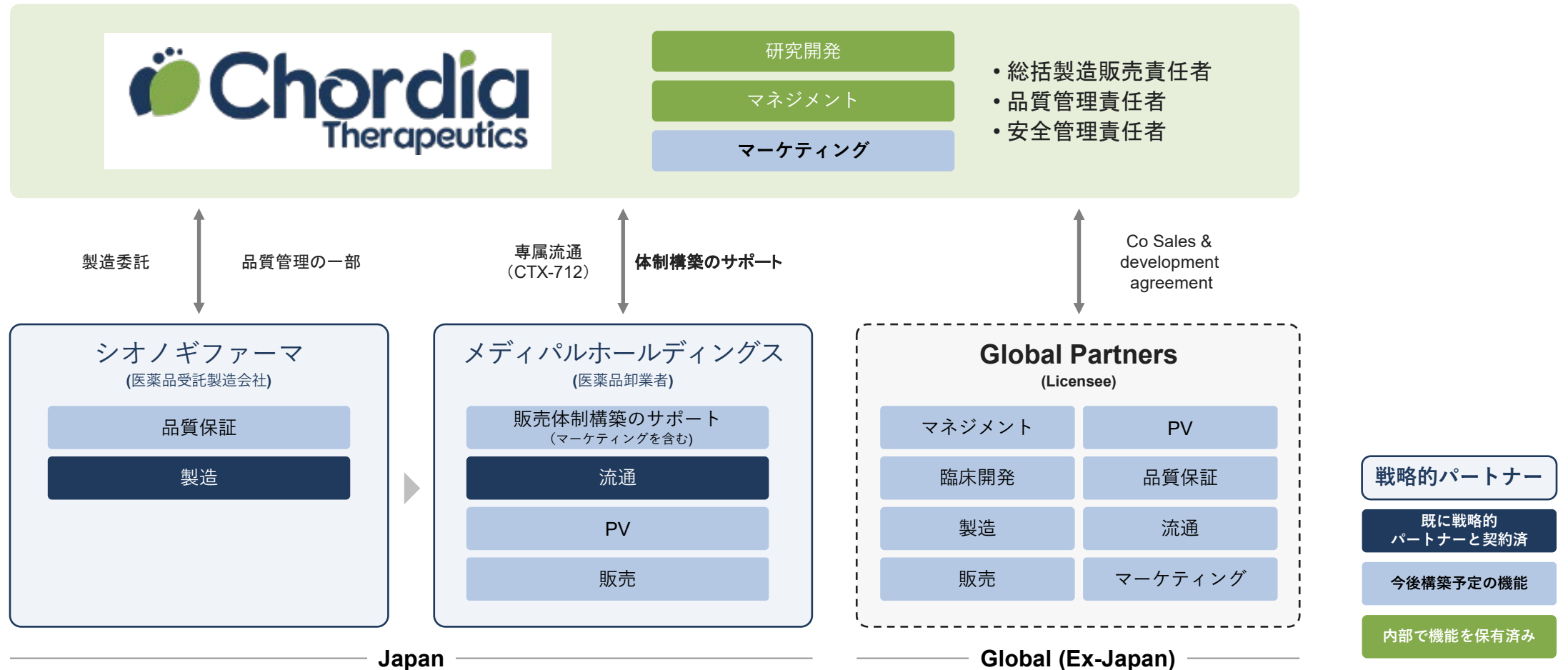
ONO PHARMACEUTICAL CO.,LTD.

小野薬品工業について

小野薬品工業株式会社（本社：大阪市中央区）は、オプジーボのオリジネーターである。
小野薬品工業はBMSとがん免疫療法の開発・商業化で協業している

将来の製品販売収入も視野にいった戦略的提携先との協力体制

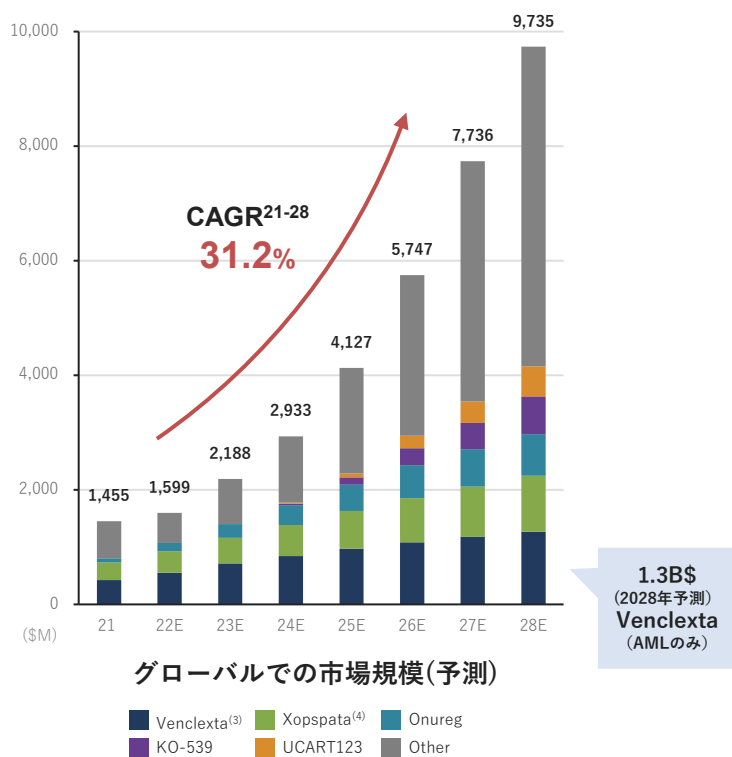
- 製造販売体制構築を当初より視野に入れ、戦略的なパートナーと提携することで、日本発の製薬会社となり、直接製品販売収入を得られる体制を構築することを考える



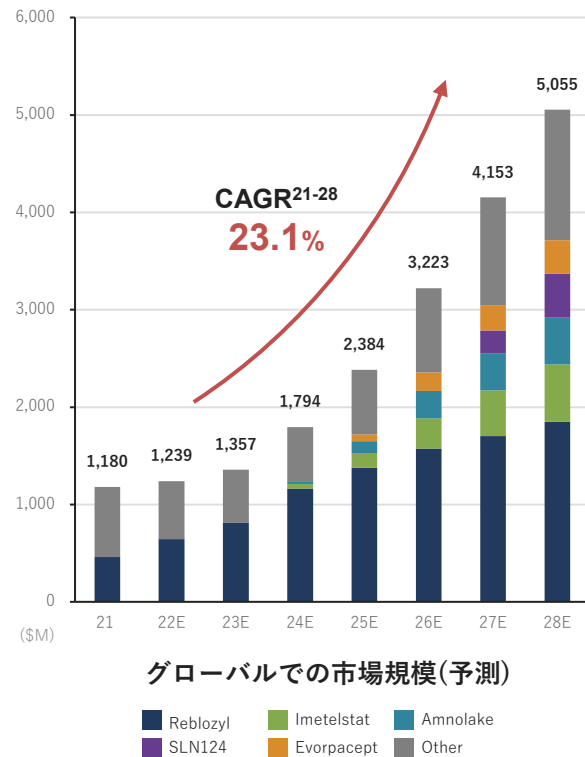
CTX-712の対象となるがん種については市場は拡大予想⁽¹⁾

- 前臨床試験および第1相臨床試験で患者での奏功を示したがん種の市場規模は増加傾向にある。また、前臨床試験のみにおいては、CTX-712は、以下の3がん種以外においても抗腫瘍効果を示している

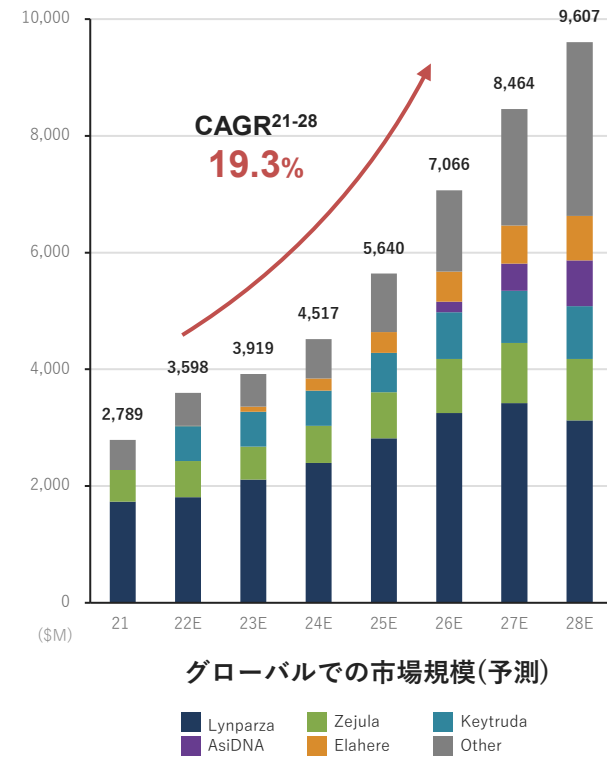
急性骨髄性白血病（AML）



骨髄異形成症候群（MDS）



卵巣がん

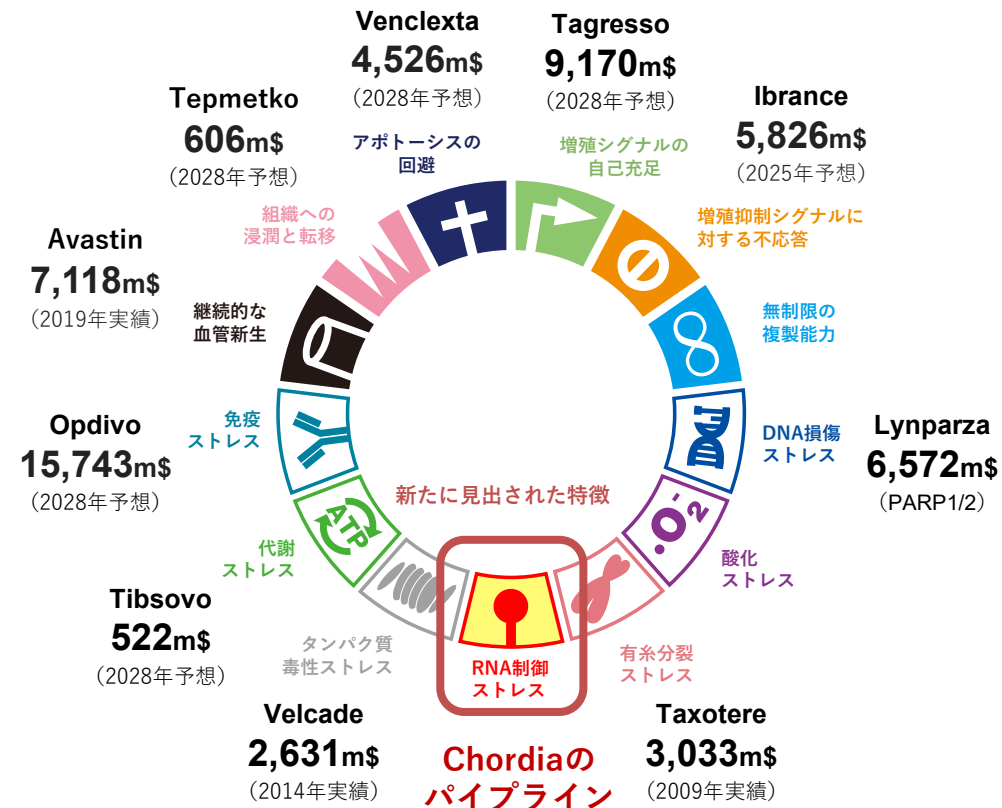


(1) AMLに対する有効性を含む様々な前提に基いたCTX-712が潜在的に対象とする全世界での最大の市場規模の概算である。実際の市場規模はかかる概算と大幅に異なることがある (2) 出典：Evaluate Pharma, (2023年1月30日時点)
 (3) Global Dataでは、Venclextaの治療期間1日辺りに平均的に必要とされる薬の費用は389.29\$と推定している (4) Global Dataでは、Xospataの治療期間1日辺りに平均的に必要とされる薬の費用は748.13\$と推定している

がん細胞の特徴をターゲットとすることの市場可能性

- がん細胞の特徴を対象とした抗がん薬には、有用性が高く、市場規模が相応にあるものが多く存在している

がん細胞の13の特徴と各特長に対する抗がん薬の例



出典: Weinberg 2000, EllEdge 2009, Meyerson 2012, Evaluate Pharma, エーザイ社のディスクローチャー資料.

(1) いわゆるがん細胞のHallmarksを標的とする開発に成功した抗がん薬が潜在的に対象としうる全世界での最大の市場規模の概算であり、当社の現在または将来のパイプラインの潜在的な市場規模を意味するものではない。

財務状況

- 2021年度に40億円の調達を実施し、2022年度に小野薬品工業からのマイルストーン収入25億円を受領したため、2023年第2四半期時点で37億円の現預金を保有しており、当面の研究開発資金は確保されている

単位：千円

BS	2021年度	2022年度	2023年度 第2四半期
流動資産	4,482,043	4,891,612	3,885,992
現預金	4,254,958	4,799,035	3,746,373
その他	227,085	92,577	139,619
固定資産	16,904	17,510	16,406
資産合計	4,498,947	4,909,123	3,902,398
流動負債	221,408	408,241	204,128
未払金	140,028	248,433	133,042
賞与引当金	23,373	15,720	—
その他	58,007	144,086	71,086
負債合計	221,408	408,241	204,128
株主資本	4,251,606	4,474,948	3,672,337
資本金	90,000	90,000	90,000
資本剰余金合計	8,279,601	8,279,601	8,279,601
繰越利益剰余金	-4,117,994	-3,894,652	-4,697,264
新株予約権	25,933	25,933	25,933
純資産	4,277,539	4,500,881	3,698,270
負債及び純資産合計	4,498,947	4,909,123	3,902,398

単位：千円

PL	2021年度	2022年度	2023年度 第2四半期
事業収益	0	2,500,000	0
直接費	0	0	0
R&D費用	1,656,114	1,996,823	671,110
人件費	166,593	215,076	103,256
業務委託費	1,376,711	1,638,587	521,910
消耗品費	53,070	64,167	12,562
その他	59,740	78,993	33,382
その他一般管理費	188,001	291,119	138,546
人件費	87,086	122,669	58,349
業務委託費	65,190	132,723	64,321
その他	35,725	35,727	15,876
営業利益／損失	-1,844,116	212,057	-809,656
営業外収入	94,970	25,948	11,444
営業外支出	27,495	12,243	3,189
税引前当期純利益／損失	-1,776,640	225,761	-801,401
法人税等	2,420	2,420	1,210
当期純利益／損失	-1,779,060	223,341	-802,611

マイルストーン達成状況と今後の想定マイルストーン

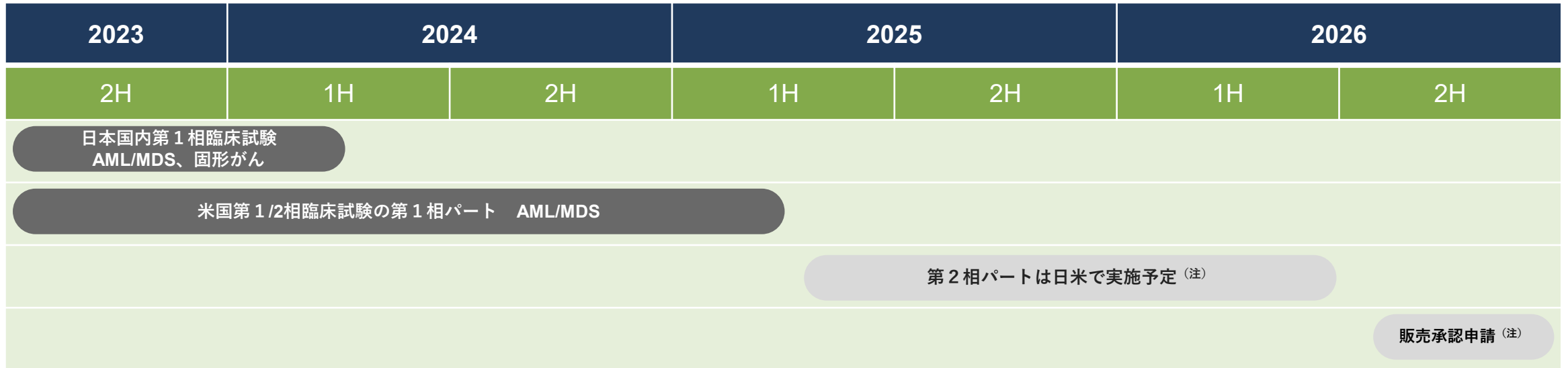
2023年8月時点での目標

- Q4 2023 CTX-712 の日本国内臨床試験の患者登録の完了
- Q4 2023 CTX-712 の米国臨床試験の概要について公表
- Q2 2024 CTX-439/GCN2の前臨床試験結果について公表
- Q2 2024 CTX-712の日本国内臨床試験成績の公表

現時点での想定マイルストーン

- 2H 2024 CTX-712 のOrphan drug designationの申請
- 2H 2024 ~ 1H 2025 CTX-712 の米国臨床試験の第1相中間成績公表
- 1H 2025 CTX-712 の日本／米国臨床試験の第2相試験開始
- 1H 2026 CTX-712 の日本／米国臨床試験の第2相データ取得
- 2H 2026 CTX-712の日本での販売承認申請

: 実施中



なお、他の自社パイプラインについては、上場後新たな資金を確保するまで多額の投資は行わず、新たなフェーズへの進捗はない見込み。
状況によっては早期導出も視野に入れ交渉を行う計画である。

(注) 臨床試験が当社の想定どおりに進行することを前提とした仮定の記載であり、必要な臨床データが当社の想定どおりに収集できない場合や、臨床データが収集できたにもかかわらず何らかの理由により次の臨床試験の実施や承認申請が実施されない、又は実施までに時間を要する場合には、記載された時期と異なる時期に実施される、または全く実施されない可能性がある

上場時の調達資金使途

- 上場時の調達資金使途は、CTX-712の日本および米国第1 / 2相臨床試験の研究開発費に充当し、残りが必要となる研究開発費については、現在の資金から捻出することを想定する

CTX-712に係る研究開発費

		2024年 8月期	2025年 8月期	2026年 8月期	合計
CTX-712 (CLK阻害薬)	日本および米国 第1 / 2相臨床試験 (血液がん/AML 2次治療)		1,000百万円	1,000百万円	2,000百万円
	合計		1,000百万円	1,000百万円	2,000百万円

リスク情報

項目	主要なリスク	リスクの概要	当社の対応方針
医薬品の研究開発、 医薬品業界に関する リスク	新薬開発の不確実性	開発の長期化や、開発を断念するリスク	パイプラインとなる化合物や対象疾患の拡充を図るとともに、プロジェクトを推進する体制を構築。
	抗がん薬の開発	他の競合パイプラインが先行して承認を取得するリスク、当社パイプラインよりも優れた治療薬となるリスク	できるだけ早くに開発を進め、競合優位性を保ちつつパートナーリングおよび上市にいち早く取り組む。
事業遂行上の リスク	特定のパイプラインに関する 提携契約への依存、収益の変 動と不確実性	収益計画の大部分をCTX-712およびCTX-177に依存しており、CTX-177については小野薬品工業社の開発動向等により収益に影響がもたらされるリスク	CTX-712については、できるだけ早くに開発を進め、競合優位性を保ちつつ上市し、市場占有率を高く維持するとともにCTX-177については小野薬品工業社を側面的に支援。
	ライセンス活動の不確実性	ライセンス活動においては、製薬会社から当社のパイプラインに関して評価を獲得する必要があり、評価をされない場合は想定規模での収益が得られないリスク	製薬会社から評価されるべく製薬会社水準での臨床試験を行い、適切な評価がされる研究開発を実施。
	小規模組織及び少数の事業推 進者への依存	人材の流出等により事業遂行に影響がもたらされるリスク	やりがいを感じることでできる風土を醸成するとともに、待遇としても業界水準を維持し、新規採用も含め社内体制の強化を進める。

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、有価証券届出書等の「事業等のリスク」をご覧ください

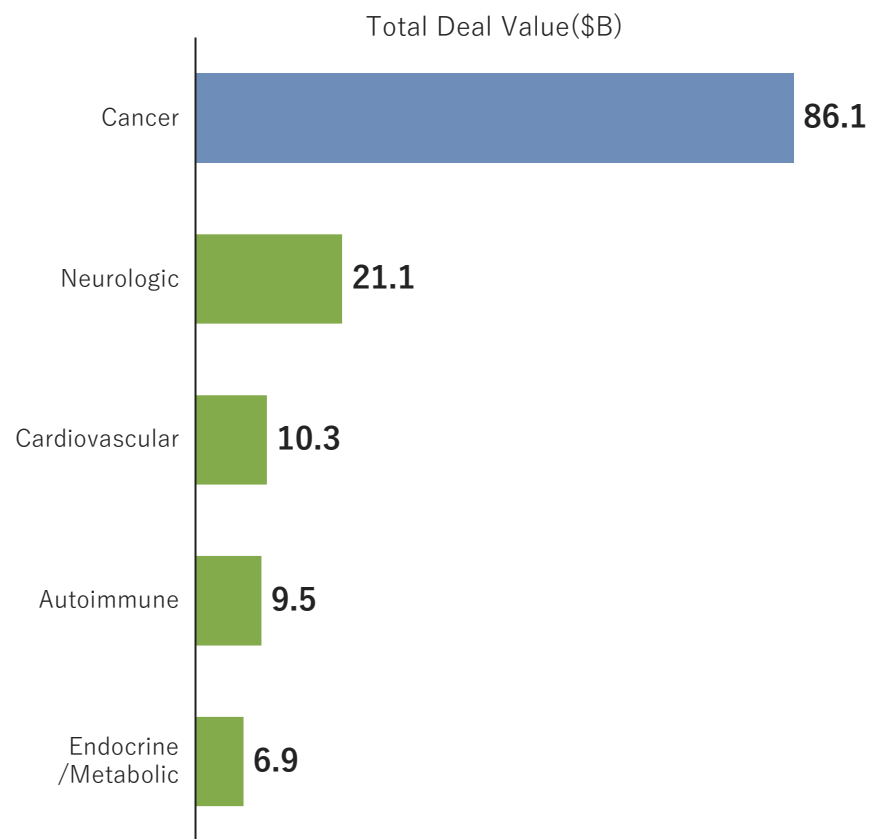
目次

1. 事業概要
2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
3. パイプラインの特徴
4. 事業計画

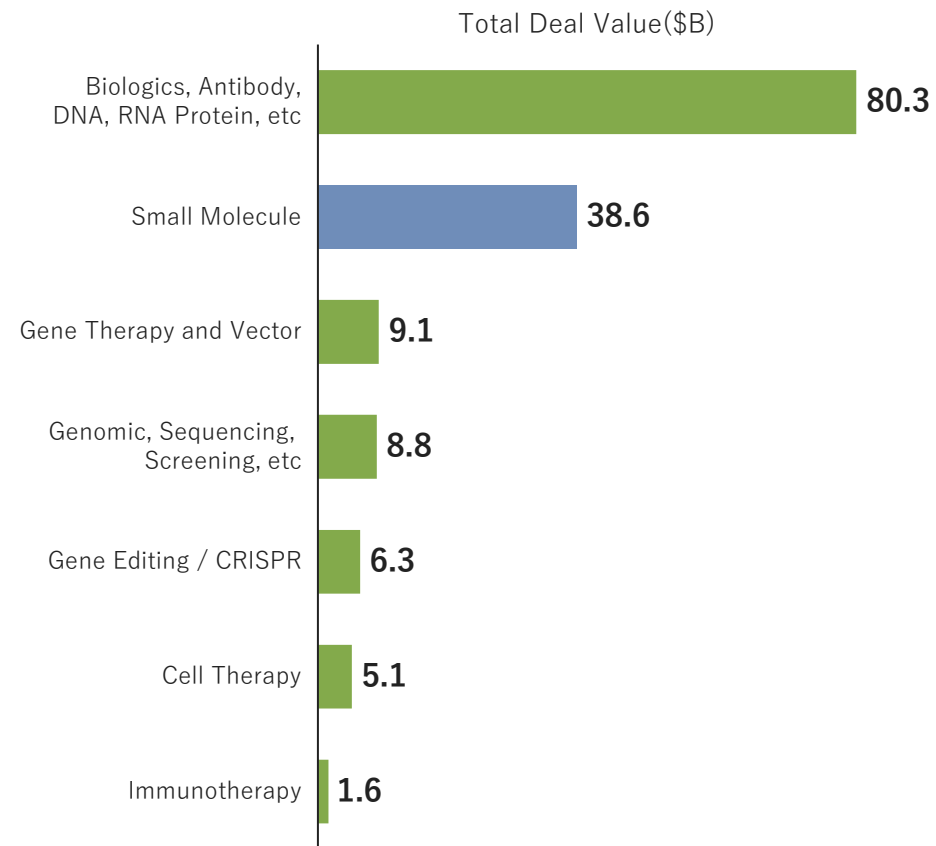
Appendix.

2023年に公表された抗がん薬および低分子のライセンス総額

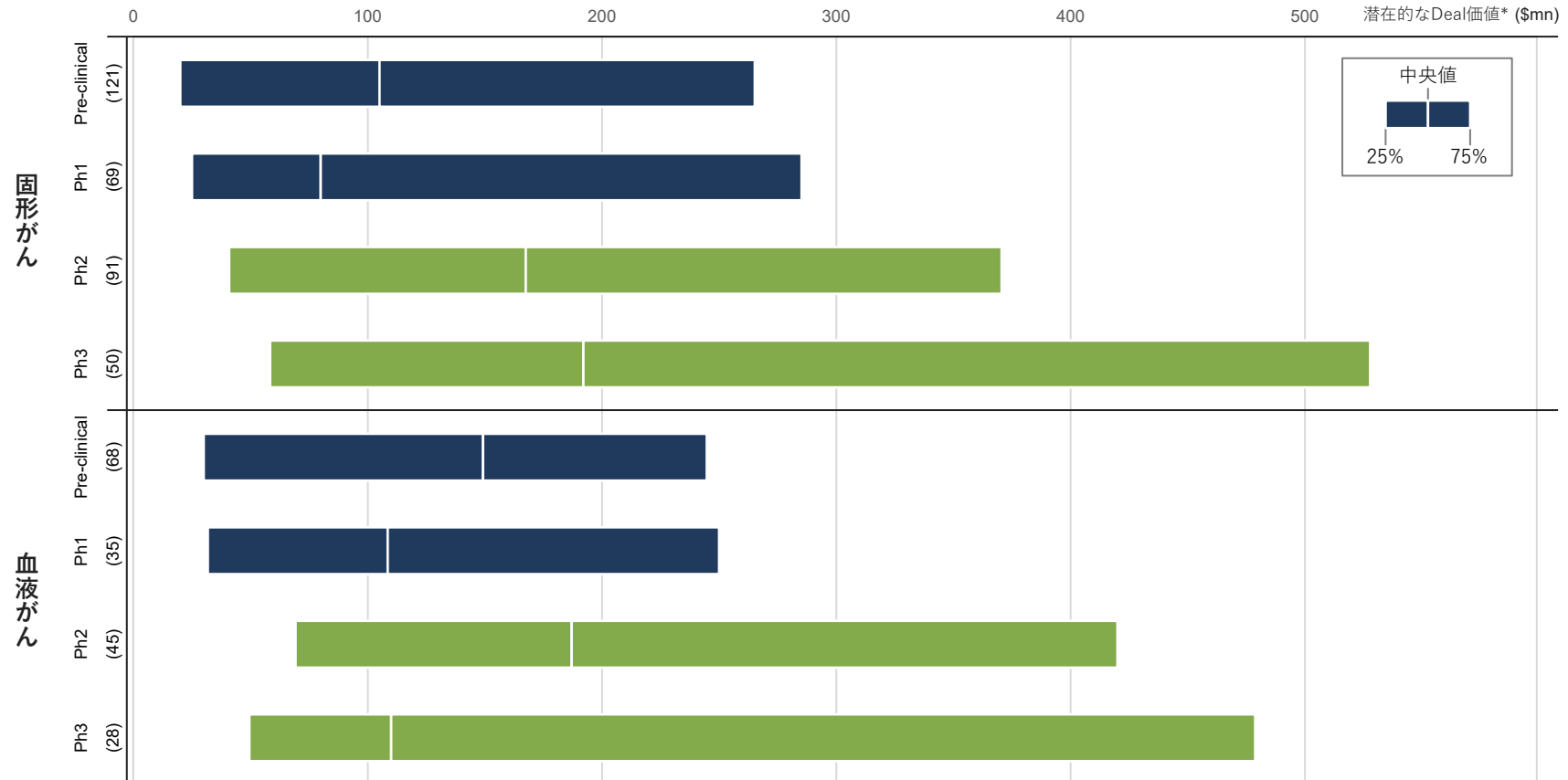
対象領域別での公表された2023年のライセンス総額



モダリティ別での公表された2023年のライセンス総額



低分子抗がん薬におけるライセンスディールの概要



* 潜在的なDeal価値については、開発一時金と潜在的なマイルストーン価値（受け取れない可能性のあるものも含む）の合計
 1. 右条件にて抽出 「Indication: Cancer」 「Proprietary level: New molecular entity」 「Technology: Small molecule chemistry」 「Deal type: In-licensed」 from 2000
 2. () はライセンスの数
 出典： Evaluate Pharma® 2021年11月25日時点Nov 2021 ©Evaluate Ltd

低分子抗がん薬におけるライセンスディールの具体例

取引日付	会社名	相手先	製品	作用機序	First-in-class	キナーゼ阻害	Deal時ステータス	POC	固形がん	現時点でのステータス	潜在的なDeal価値* (\$m)	一時金 (\$m)	開発マイルストーン (\$m)	販売マイルストーン (\$m)	最大ロイヤリティ (%)
2018	Johnson & Johnson	Yuhan	lazertinib	EGFR inhibitor	×	○	第2相	○	○	上市済み	1,255	50	1,205	-	-
	Xynomic Pharmaceuticals	Boehringer Ingelheim	BI 860585	mTORC 1/2 inhibitor	×	○	第1相	○	○	第2相	800	-	-	-	-
	PellePharm	Infinity Pharmaceuticals	patidegib	SMO inhibitor	×	×	第2相	○	○	第3相	760	28	-	-	-
2017	Bayer	Loxo Oncology	larotrectinib sulfate	TRK inhibitor	○	○	第2相	○	○	上市済み	1,550	400	-	-	-
2015	Boehringer Ingelheim	Hanmi Pharmaceutical	olmutinib hydrochloride	EGFR inhibitor	×	○	第2相	○	○	第2相にて中止済み	730	50	680	-	-
2014	Roche	NewLink Genetics	navoximod	IDO inhibitor	○	×	第1相	×	○	第2相にて中止済み	1,150	150	1,000	-	22%
	AbbVie	Infinity Pharmaceuticals	duvelisib	PI3K γ/δ inhibitor	○	○	第2相	○	○	第2相にて中止済み	805	275	405	-	31%
2012	Baxter International	Onconova Therapeutics	rigosertib sodium	PLK inhibitor	○	○	第2相	○	○	第2/3相	888	50	208	250	21%

* 潜在的なDeal価値については、開発一時金と潜在的なマイルストーン価値（受け取れない可能性のあるものも含む）の合計
 右条件にて抽出 「Indication: Cancer」 「Proprietary level: New molecular entity」 「Technology: Small molecule chemistry」 「Deal type: license Product」 「Status on Deal Date: Phase 1 or2」
 「Deal Value(m\$):700 not less than」 from 2012
 出典： Evaluate Pharma® 2022年6月21日時点 ©Evaluate Ltd

ファーストインクラスのパイプラインを保有する会社でのM&A事例

取引日付	買収会社	売却会社	国	潜在的な Deal 価値 *(\$m)	研究開発 プロジェクト数	疾患領域別の 研究開発 プロジェクト数	上市された 製品数	テクノロジー	作用機序	First in Class	リード プログラムの ステージ
2021	Amgen	Five Prime Therapeutics	USA	1,900	9	Onco: 9,	0	mAb	FGFR2b	○	第2相
	MorphoSys	Constellation Pharmaceuticals	USA	1,700	6	Onco: 6,	0	Small Mol.	BET EZH2	○	第3相
	Pfizer	Trillium Therapeutics	Canada	2,260	7	Onco: 5, GU: 1, Immuno: 1,	0	Fc Protein	SIRP-Fc	○	第1b/2相
	Sanofi	Kymab	United Kingdom	1,450	8	Onco: 4, Blood: 1, Immuno: 2, Various: 1	0	mAb	OX40L ICOS	○	第2相
2020	Boehringer Ingelheim	NBE-Therapeutics	Switzerland	1,430	8	Onco: 7, Various: 1	0	ADC	ROR1	○	第1相
	Merck & Co	VelosBio	USA	2,750	5	Onco: 5,	0	ADC	ROR1	○	第1/2相
	Merck & Co	ArQule	USA	2,700	5	Onco: 5,	0	Small Mol.	BTKmt AKT FGFR	○	第2相
	Sanofi	Synthorx	USA	2,500	5	Onco: 3, Immuno: 1, Various: 1	0	Protein	PEG-IL2	×	第2相
	Gilead Sciences	Forty Seven	USA	4,900	3	Onco: 2, Immuno: 1,	0	mAb	CD47	○	第2相
	Sanofi	Principia Biopharma	USA	3,680	5	Onco: 1, CNS: 1, Immuno: 3,	0	Small Mol.	BTK	×	第2相
2019	Eli Lilly	Loxo Oncology	USA	8,000	6	Onco: 6,	0	Small Mol.	TRK RET BTK	○	承認済
	Merck & Co	Peloton Therapeutics	USA	2,200	4	Onco: 4,	0	Small Mol.	HIF-2α	○	第2相
2018	Roche	Ignyta	USA	1,700	8	Onco: 8,	0	Small Mol.	ROS1/TRK	○	第2相
	Eli Lilly	ARMO BioSciences	USA	1,600	5	Onco: 5,	0	Protein	PEG-IL10	○	第3相
	Celgene	Impact Biomedicines	USA	7,000	1	Onco: 1,	0	Small Mol.	JAK2	○	第3相
2016	Jazz Pharmaceuticals	Celator Pharmaceuticals	USA	1,500	9	Onco: 9,	0	Small Mol.	Cytarabine /Daunorubicin	×	第3相
	Astellas Pharma	Ganymed Pharmaceuticals	Germany	1,402	8	Onco: 8,	0	mAb	Claudin18.2	○	第3相
	Celgene	EngMab	Switzerland	3,100	2	Onco: 2,	0	mAb	CD3/BCMA	○	第1相

g 右条件にて抽出 [Therapeutic area: Oncology] [Deal type: Acquired Company] [R&D Project::Under 10] [Deal Value(m\$):1,000 over] from 2012 出典: Evaluate Pharma® 2022年6月21日 ©Evaluate Ltd
* 潜在的なDeal価値については、開発一時金と潜在的なマイルストーン価値 (受け取れない可能性のあるものも含む) の合計。

Forty Sevenは、2019年12月に開催された米国血液学会で、MDSおよびAMLの患者を対象としたMagrolimabの第1相試験の有望な結果を発表しました。Magrolimabはファーストインクラスの治療薬となる可能性を持っています。(from 2nd March 2020 Business Wire)

