



2024年8月期決算説明資料

Chordia Therapeutics株式会社
(証券コード：190A)

2024年10月15日

目次

1.	会社概況	P.	3
2.	パイプラインの概況	P.	16
3.	2024年8月期業績および2025年8月期業績予想	P.	38
4.	事業の振り返りと今後の見通し	P.	43

会社概要および沿革

会社概要

会社名	Chordia Therapeutics株式会社
証券コード	190A
設立日	2017年10月12日
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	844,100,550円
累積調達額	約97億円

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
2024年	6月	• 東京証券取引所グロース市場に上場

経営陣とコーポレートガバナンス

- 元武田薬品工業のがん創薬ユニットヘッドのCEOが唯一の業務執行取締役を務め、経験豊富で多様性に富んだ社外取締役がモニタリングを行う形でのコーポレートガバナンス体制を構築

業務執行取締役

代表取締役/CEO：三宅 洋



- 2017年10月に共同創業者とともにChordia Therapeuticsを設立し、CEOに就任
- Chordia入社以前は、武田薬品工業にて一貫して研究領域に従事し、武田サンディエゴへの出向を経て、2014年以降がん創薬ユニットの日本サイトヘッドを担う
- 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

専門領域



社外取締役：嶋内 明彦

(元 INDEE MEDICAL創業者、元エムズサイエンス代表取締役)

経営

監査等委員会（社外取締役）



社外取締役監査等委員：石井 幸佑

(公認会計士／ラクオリア創薬社外取締役)

会計



社外取締役監査等委員：西方 ゆかり

(元武田薬品工業オンコロジー領域ユニット日本・アジア代表)

研究開発



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)

法律

当社の特徴

- アカデミアとの連携によるシーズ探索能力と、製薬会社で培った創薬力による上市させる研究開発能力を持つハイブリッドモデル

武田薬品工業からの 優秀な創薬研究者によるスピナウト



産学連携における 卓越した実績とネットワーク

大学発ベンチャー表彰2022
文部科学大臣賞

第6回日本オープンイノベーション大賞
科学技術政策大臣賞

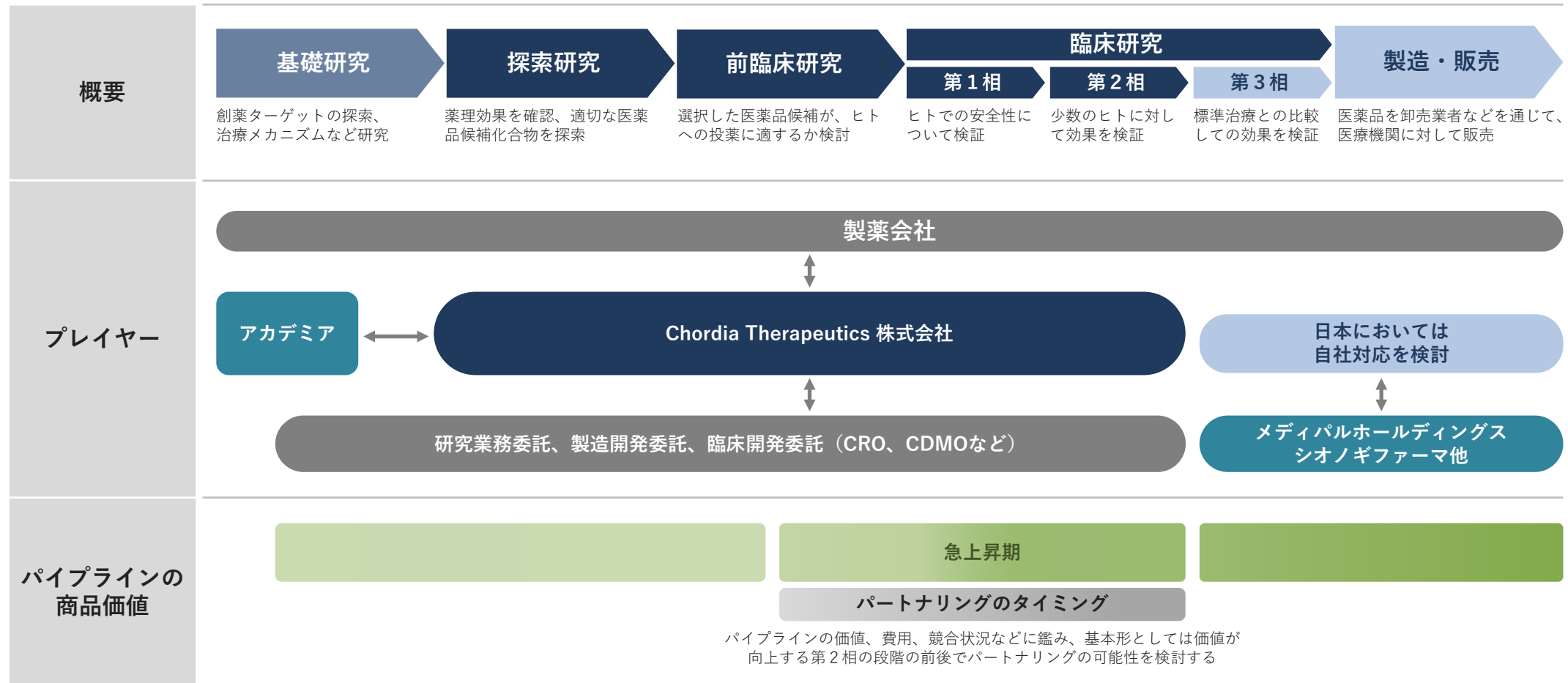
第6回日本医療研究開発大賞
スタートアップ賞

2024日本スタートアップ大賞
文部科学大臣賞



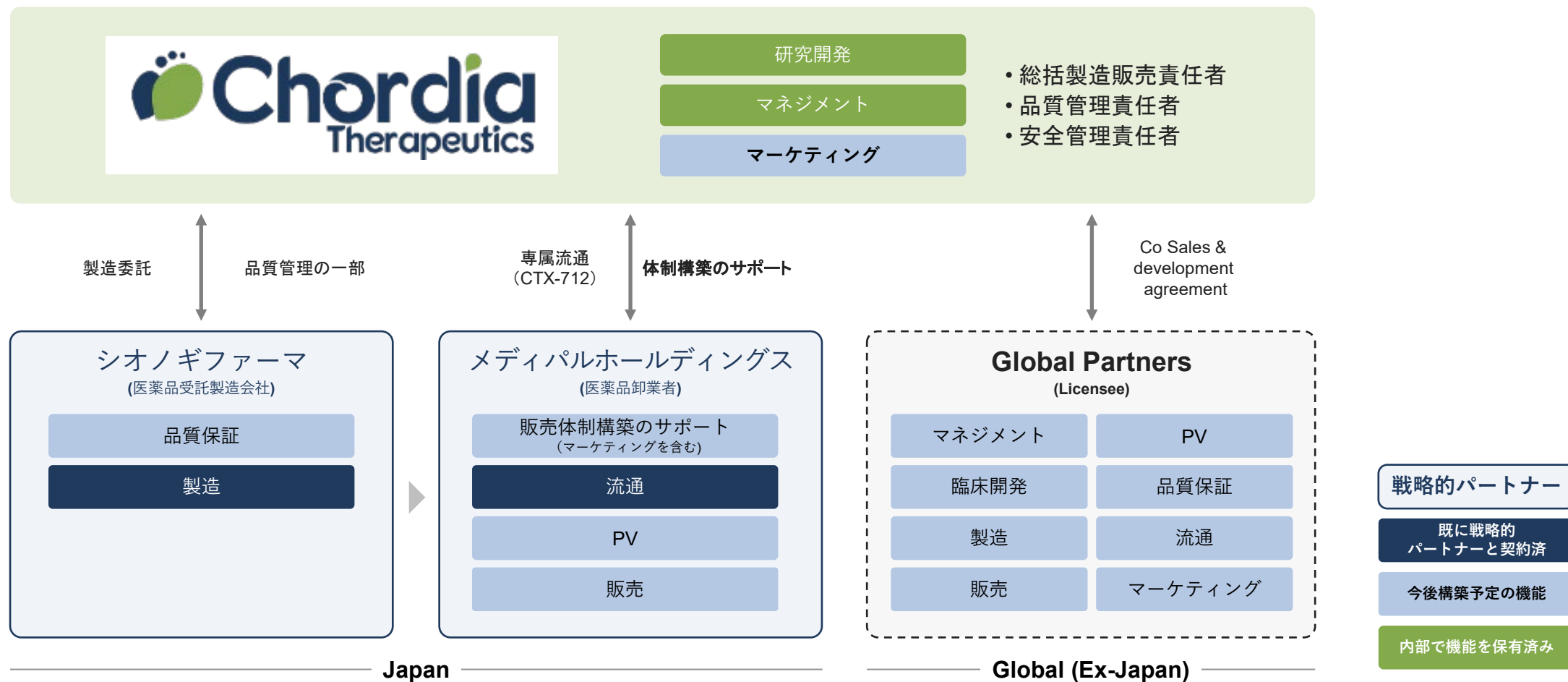
臨床POCを確立したパイプラインをもとに高利益なビジネスを目指す

- 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



日本発の製薬会社になることを視野にいた国内プレイヤーとの提携

- 製造販売体制構築を視野に入れ、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る方針



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の小分子抗がん薬を開発



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

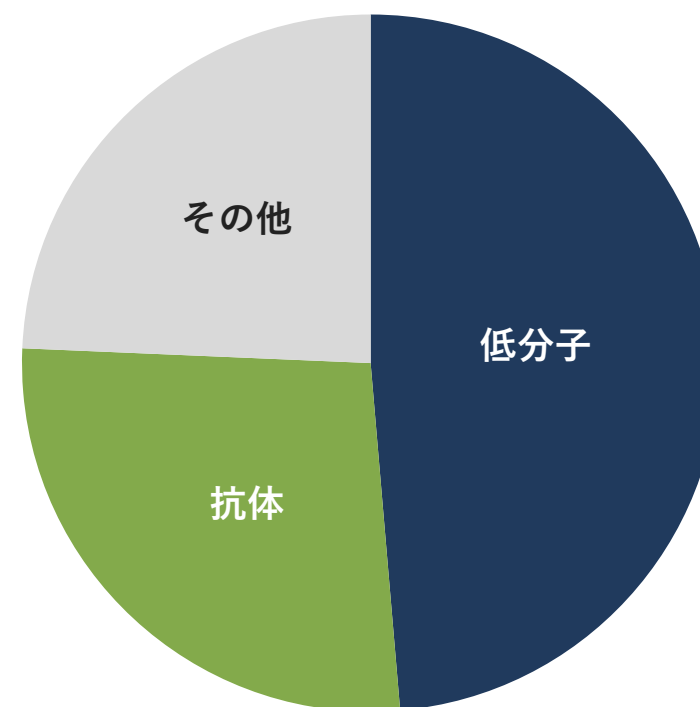
当社のポジショニング～低分子化合物創薬

- 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ている

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

出典：Evaluate Pharma 2023年6月時点データより

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

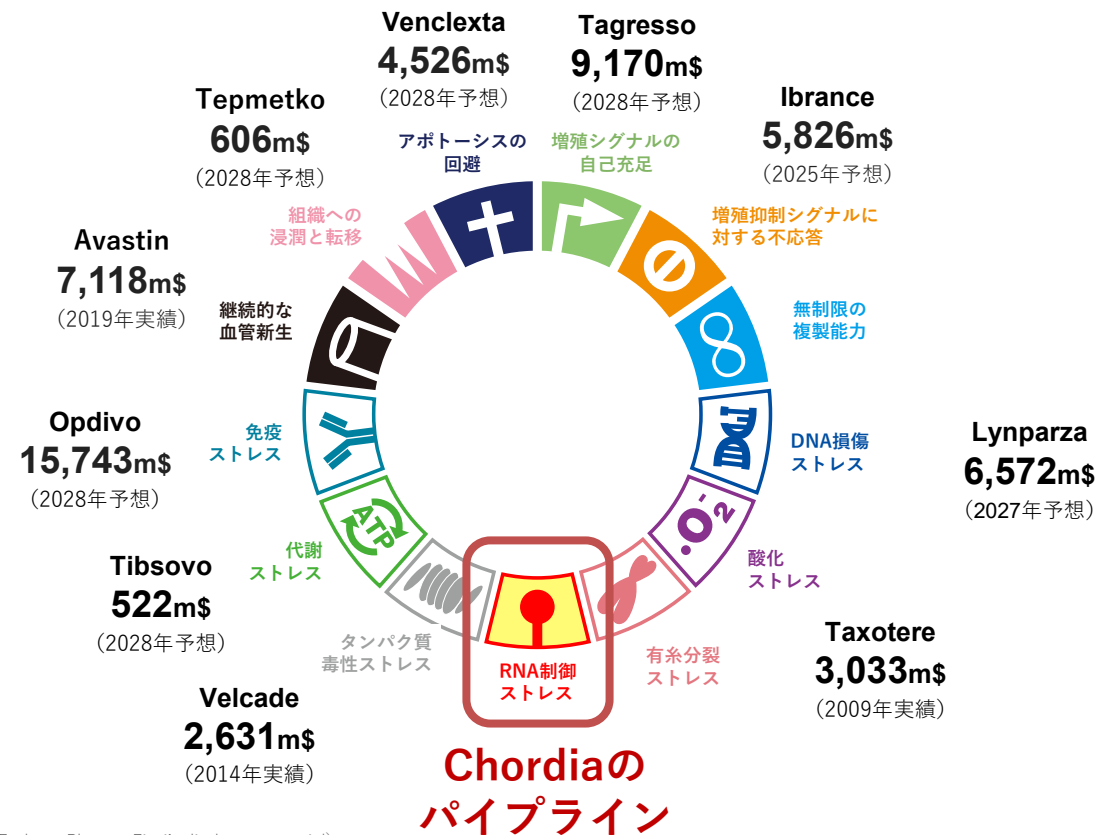
新規性が高く難易度が高いため、高い薬価が期待できる

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

当社が着目するがんの特性であるRNA制御ストレス

- がんの特徴、弱点に対して作用する抗がん薬は高い治療効果を持ち、大きな売上となるケースが多い
- 当社が注力するRNA制御ストレスは近年新たに発見されたがんの特徴の一つであり、新規抗がん薬開発で注目されている

がん細胞の13の特徴とそれに対する抗がん薬の例とピークセールス(1)







出所：公表情報をもとに当社作成(Weinberg 2000, Elledge 2009, Meyerson 2012 and Evaluate Pharma, Eisai's disclosure material)

(1) がんの特徴のいずれかを標的とする抗がん剤の開発に成功した場合に対処可能な最大世界市場規模の推定値であり、当社の現在または将来のパイプラインの潜在的市場規模を意味するものではない。また各抗がん薬についての数値は、売上が最大額となった年における売上金額

ストレスを標的としたがん治療薬の状況

- がん細胞のHallmarksであるDNA損傷ストレス及びタンパク質毒性ストレスを標的とした抗がん薬は、既に上市済み
- 一方でRNA制御ストレスを標的とした治療薬は、未だ上市品が存在しないホワイトスペース

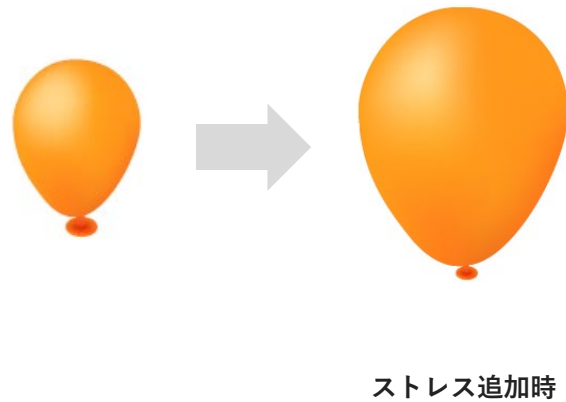
DNA、RNA及びタンパク質にかかるストレスを標的とした上市済みのがん治療薬の現状とChordiaのパイプラインの位置づけ

	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)	PARP1/2 (Olaparib)	-	-	-	-	XPO1 (XPOVIO)	Proteasome (VELCADE)
Chordiaの パイプライン	-	 CDK12 (CTX-439)	 CLK (CTX-712)	 New	 GCN2	-	-

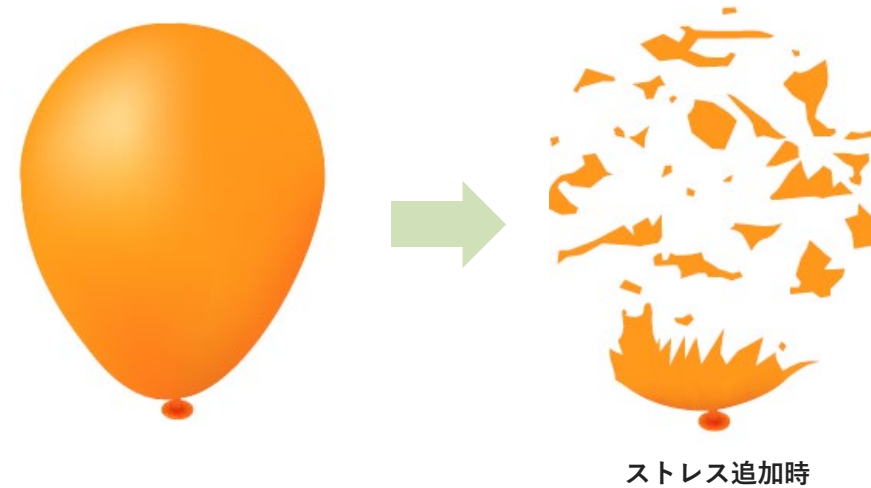
当社が手掛ける抗がん薬のコンセプト

- がん細胞に比べてストレスがない正常細胞は、追加のストレスにはある程度耐えうる (左図)
- 既に大きなストレスがかかっているがん細胞に追加でストレスを加えると、がん細胞は耐えることが出来ずに死滅するものと期待される (右図) (1)

正常細胞







がん細胞



*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

ESG経営に対する当社の取り組み

- 当社の事業の中核である医薬品の創出による社会貢献に加え、環境への配慮、女性活躍の推進、次世代教育および情報開示に対して積極的に取り組んでいる

	当社が重点する取り組み	具体的な内容	持続可能な17の目標
E nvironment (環境)	環境に配慮した マネジメントの推進	<ul style="list-style-type: none">・ 会社会議の際に原則として紙資料の配布は行わず、ペーパーレスの実施・ リモートワークが出来る環境を整えており、現時点でも約半数はリモートワークを活用	
S ocial (社会)	患者のために 革新的な医薬品を創出	<ul style="list-style-type: none">・ 標準治療がなくなったがん患者に対して第1相臨床試験を実施し、複数の患者で有効性を確認	
	Diversity & Inclusion の促進	<ul style="list-style-type: none">・ 女性取締役が全体の40%を占める	
	次世代の育成に向けた 取り組み	<ul style="list-style-type: none">・ 山梨県甲陵高校での課題研究の講師、立命館大学への出張講義など複数の教育プログラムに貢献	
G overnance (ガバナンス)	株主およびステークホルダーへの 適切な情報開示の実現	<ul style="list-style-type: none">・ 情報開示を率先する独立社外取締役の比率が80パーセントを占める	

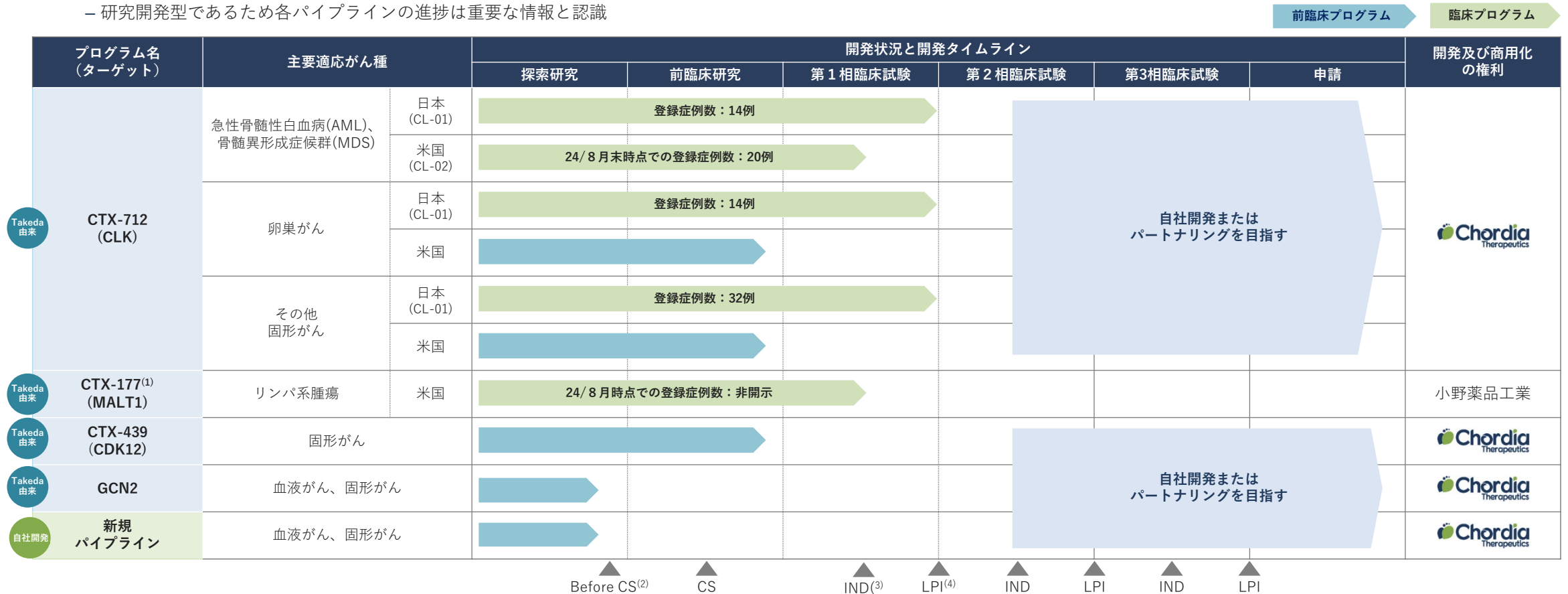
目次

1.	会社概況	P. 3
2.	パイプラインの概況	P. 16
3.	2024年8月期業績および2025年8月期業績予想	P. 38
4.	事業の振り返りと今後の見通し	P. 43

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

- 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



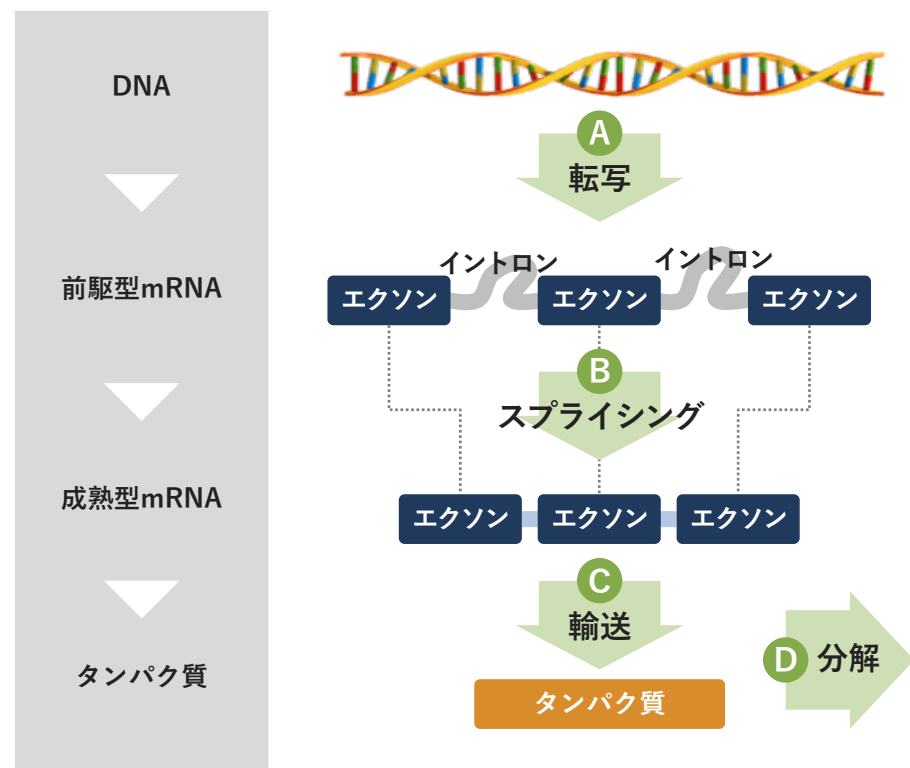
上記の情報には将来見直しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験または新薬の承認の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見直しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。

(1) 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(2) CS: Candidate Selection (臨床候補化合物選定)、(3)IND: Investigational New Drug Application (治験申請)、(4)LPI: Last Patient In (被験者登録の終了)

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。

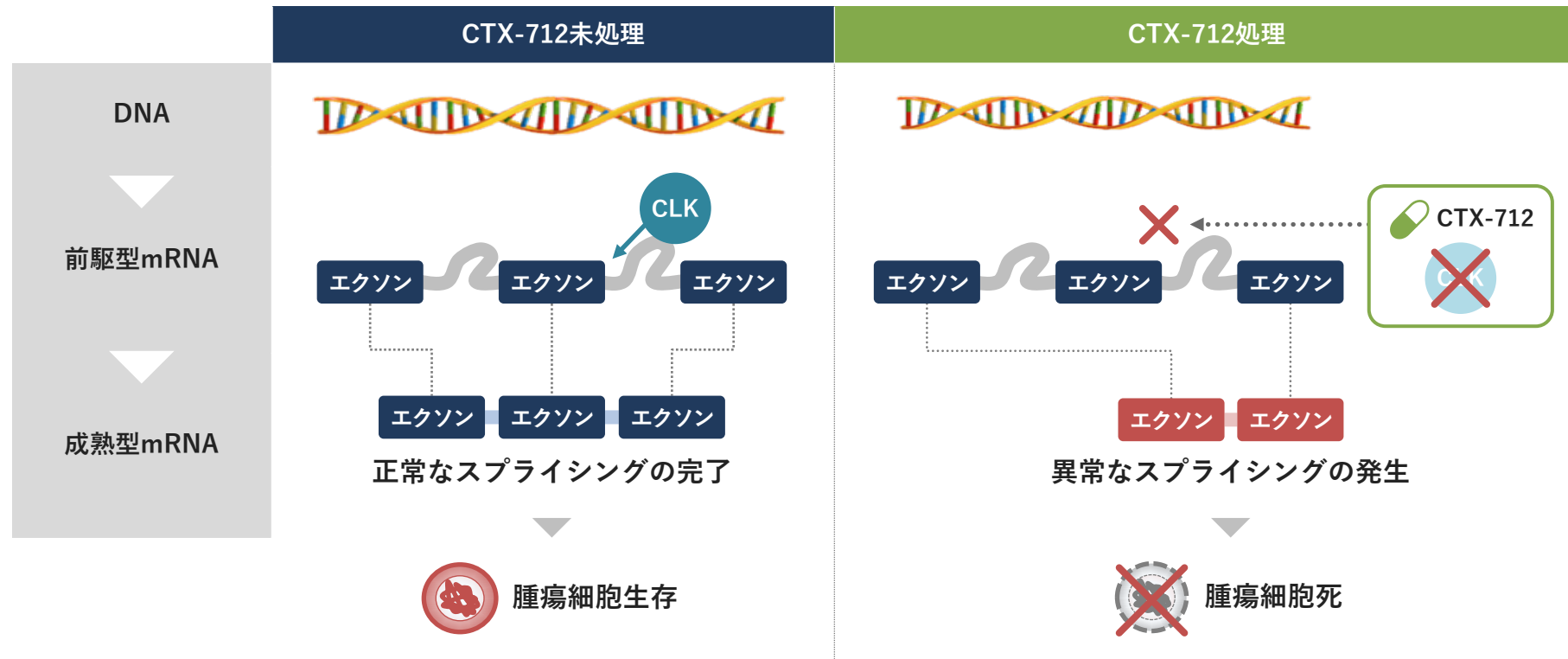
D：分解

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。

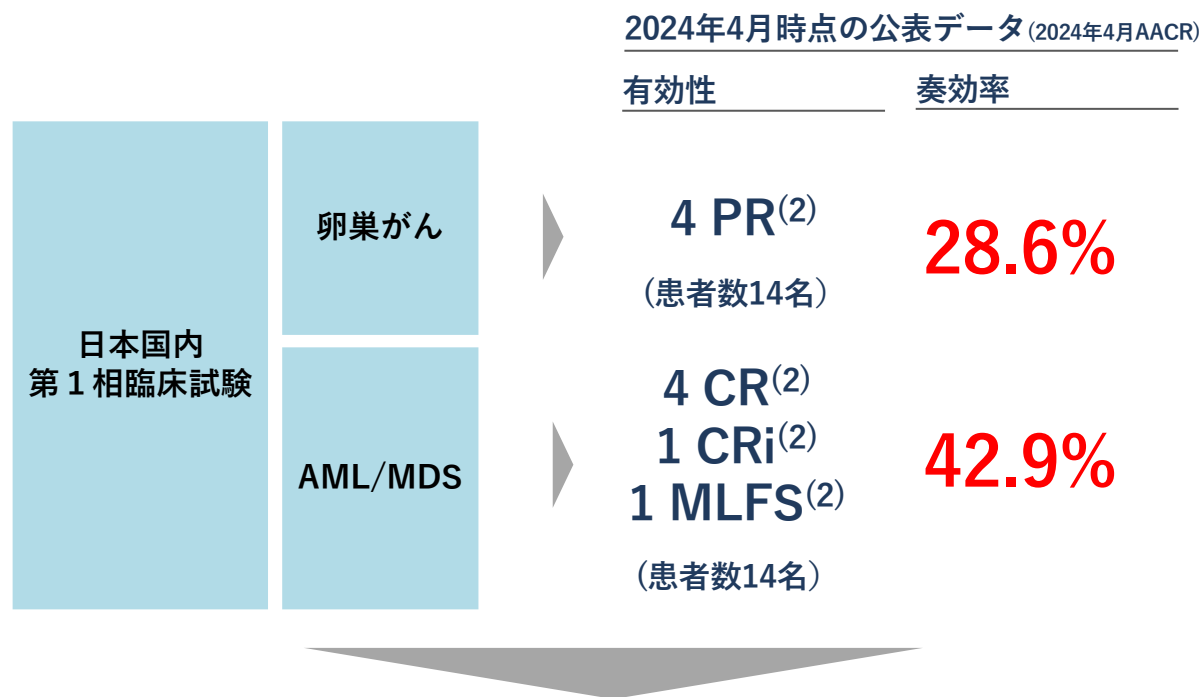
RNA制御ストレスを増大させてがん細胞を死滅させる

- 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



日本での第1相臨床試験において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



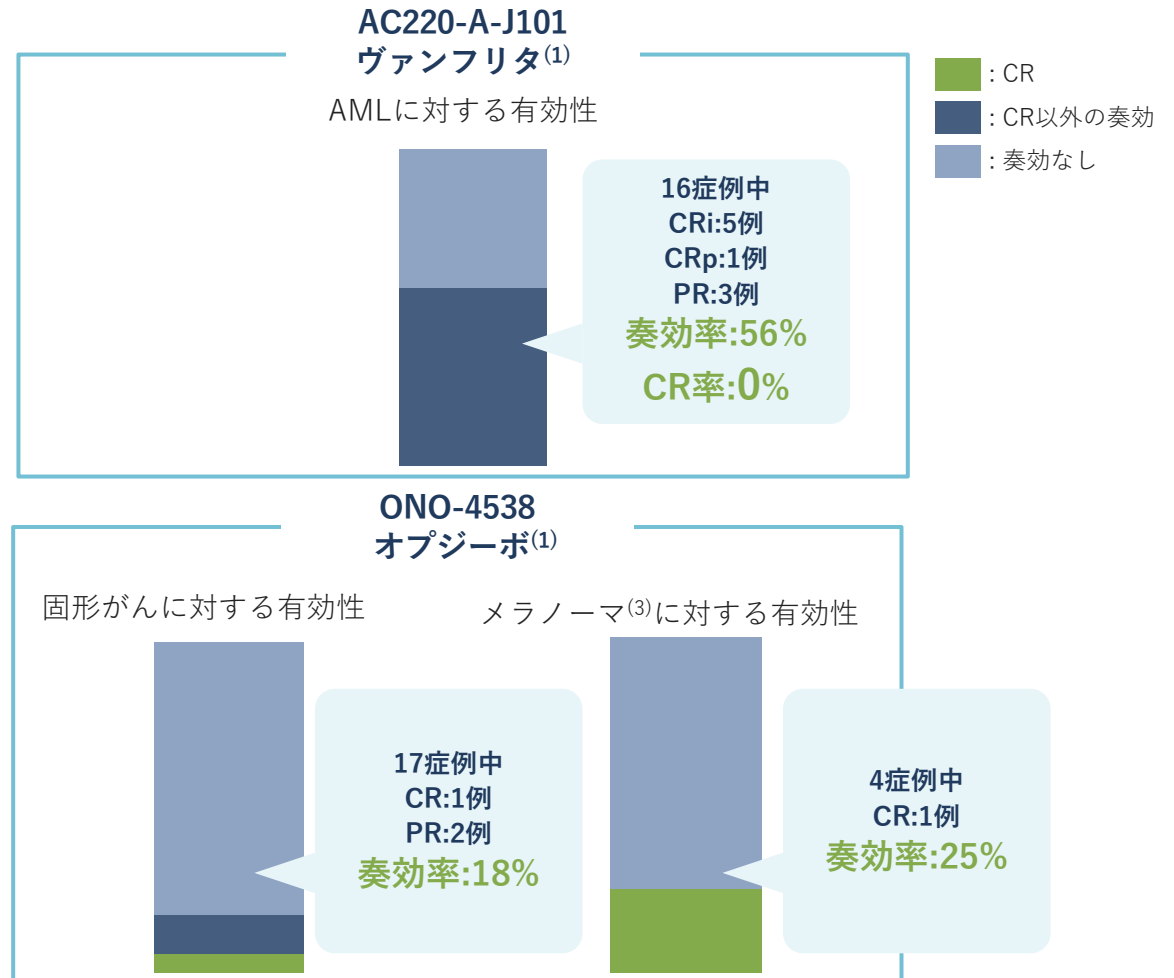
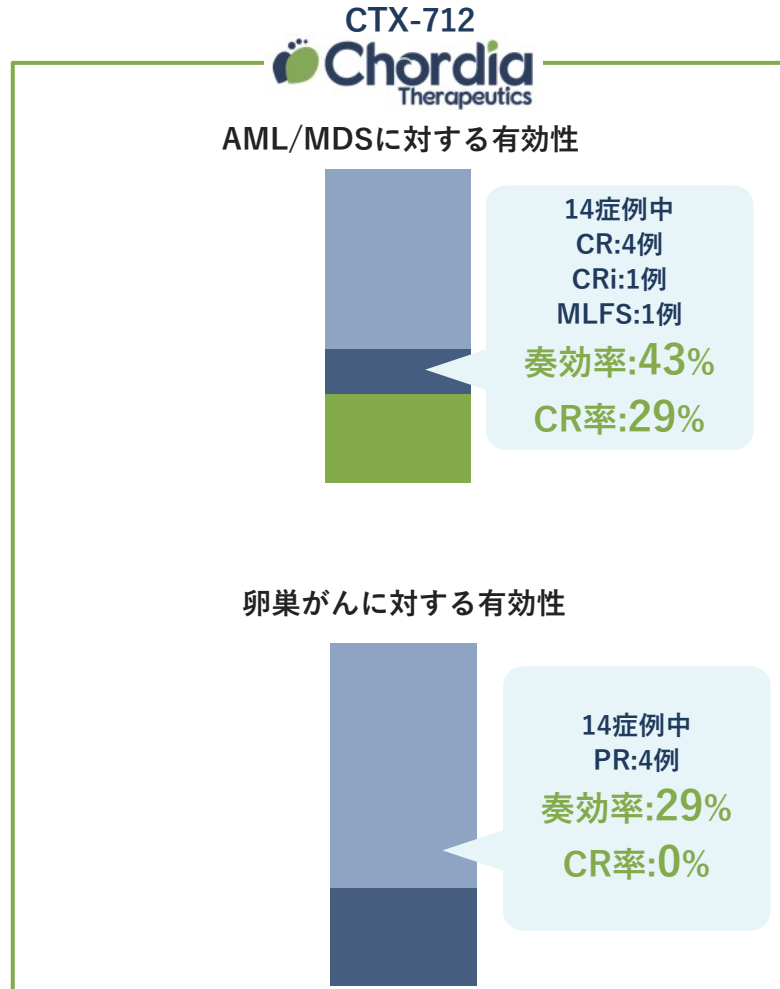
- 臨床で有効例が確認出来たAMLの2次治療以降の臨床開発に注力し、2026~2028年中の承認申請を目指し、迅速承認を狙う戦略⁽¹⁾
- 現在は米国でのAMLとMDSの第1/2相臨床試験の第1相パート実施中で、2024年8月末時点で20人の患者の登録を実施

(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)

CTX-712は第1相臨床試験で高い奏効率を示した

●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



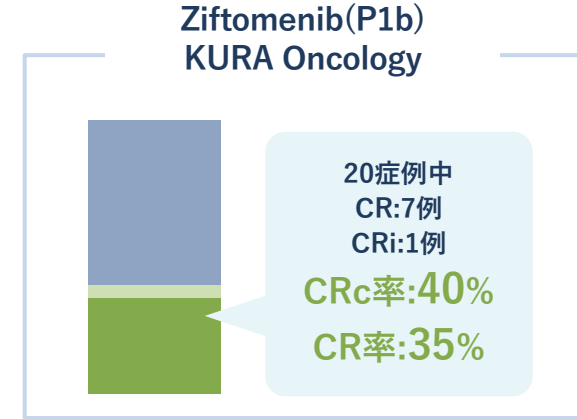
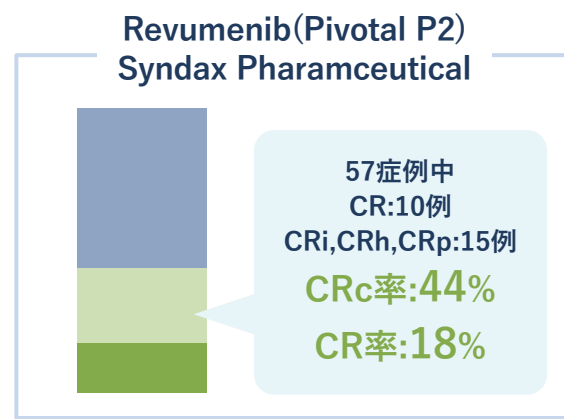
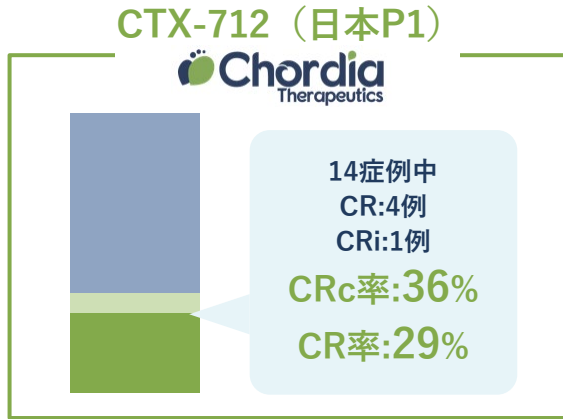
(1) 出典：ヴァンフリタ、オブジーボのインタビューフォームを参照して、当社作成

(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

直近でのFDAにて承認・承認申請を行っている治療薬との比較

●単剤で承認または承認申請を行っている治療薬とも比肩し得る成績。現在は、米国のAMLでの症例数を追加していくことに注力

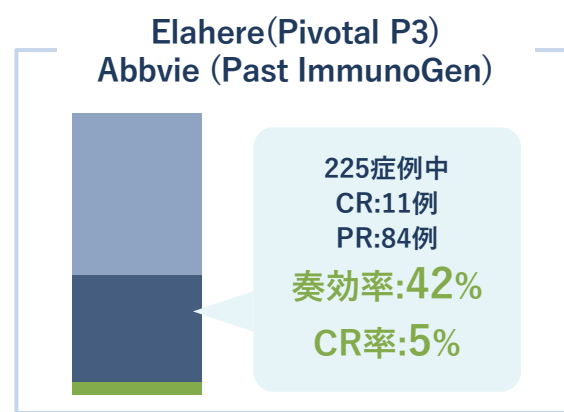
AML



P2試験完了／承認審査中

Pivotal P2試験中

卵巣がん



2024年FDAにて承認済み

<補足ポイント>

- 当社試験は、第1相試験であるため、Pivotal試験との前提条件が異なっている
- Revumenib、ZiftomenibおよびElahere（承認済み）とは、作用機序が異なることから共存してマーケットをともに拡大できる可能性が存在する（順番に利用し、がん患者の意味ある延命を実現することに貢献する）

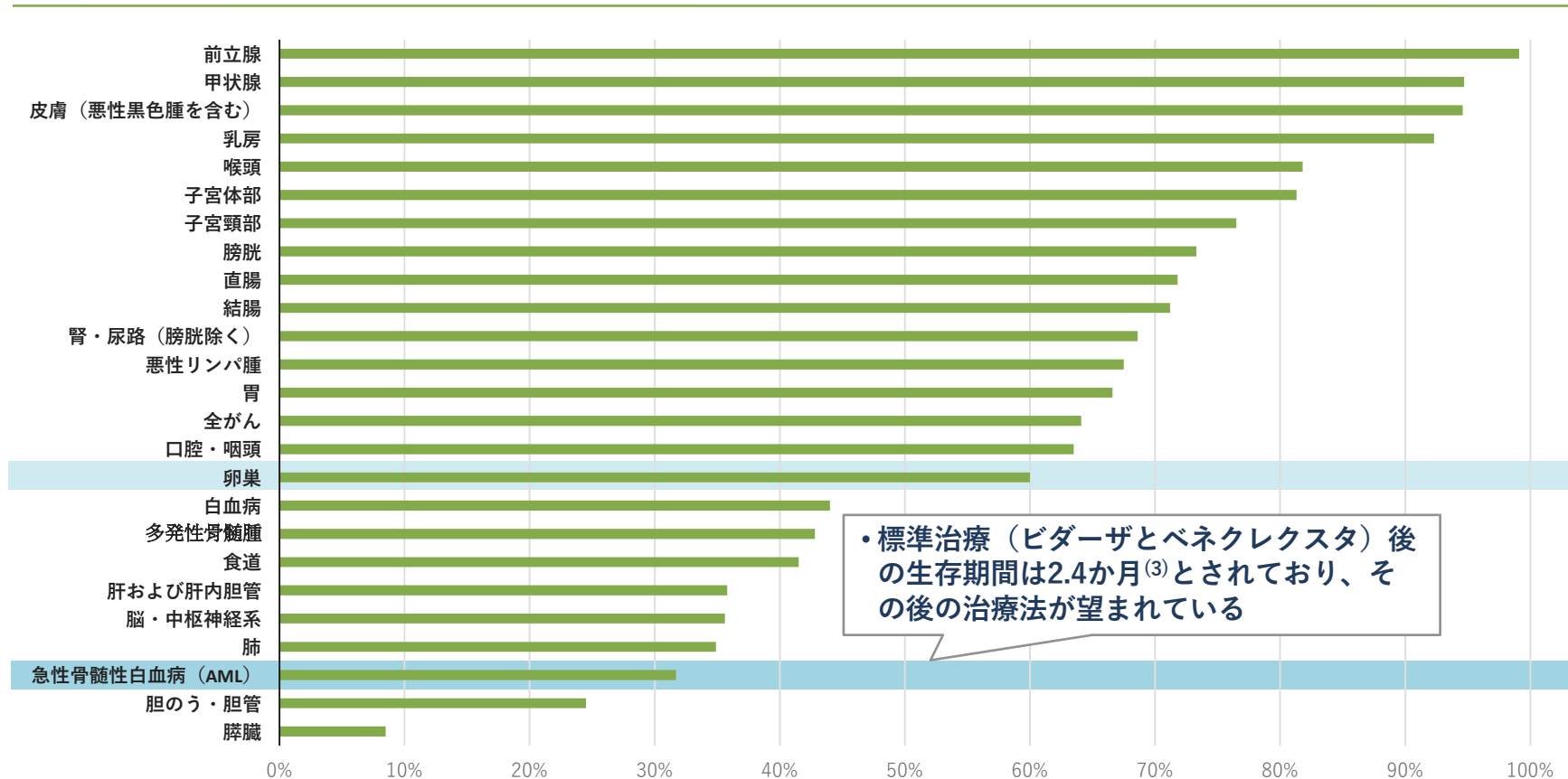


(1)引用：20240812 Synax News release, EHA-2023-LateBreakingPresentation_Ziftomenib, <https://www.elaherehcp.com/>

アンメットニーズの高いAMLと卵巣がんを最初の対象として想定

- 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。AMLと卵巣がんは免疫療法が承認されておらず、新たな治療法の開発が強く望まれている

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.)

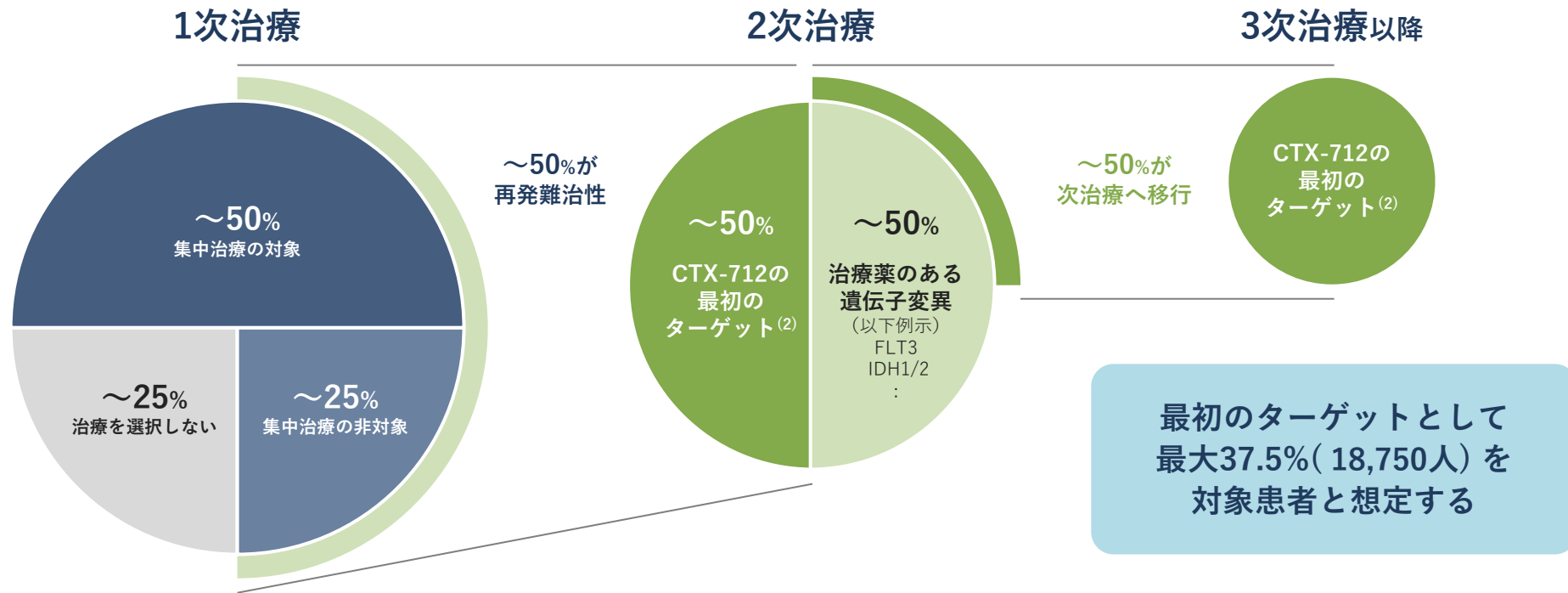
CTX-712は治療選択肢が限られるAMLの2次治療以降で開発中

- 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⁾

CTX-712治療対象の
AML患者数

仮定上の薬価/日⁽³⁾

仮定上の
治療期間

潜在的な市場規模
のイメージ

約18,750人⁽²⁾

40,000円

270日

約2,000億円

91,000円

約4,000億円

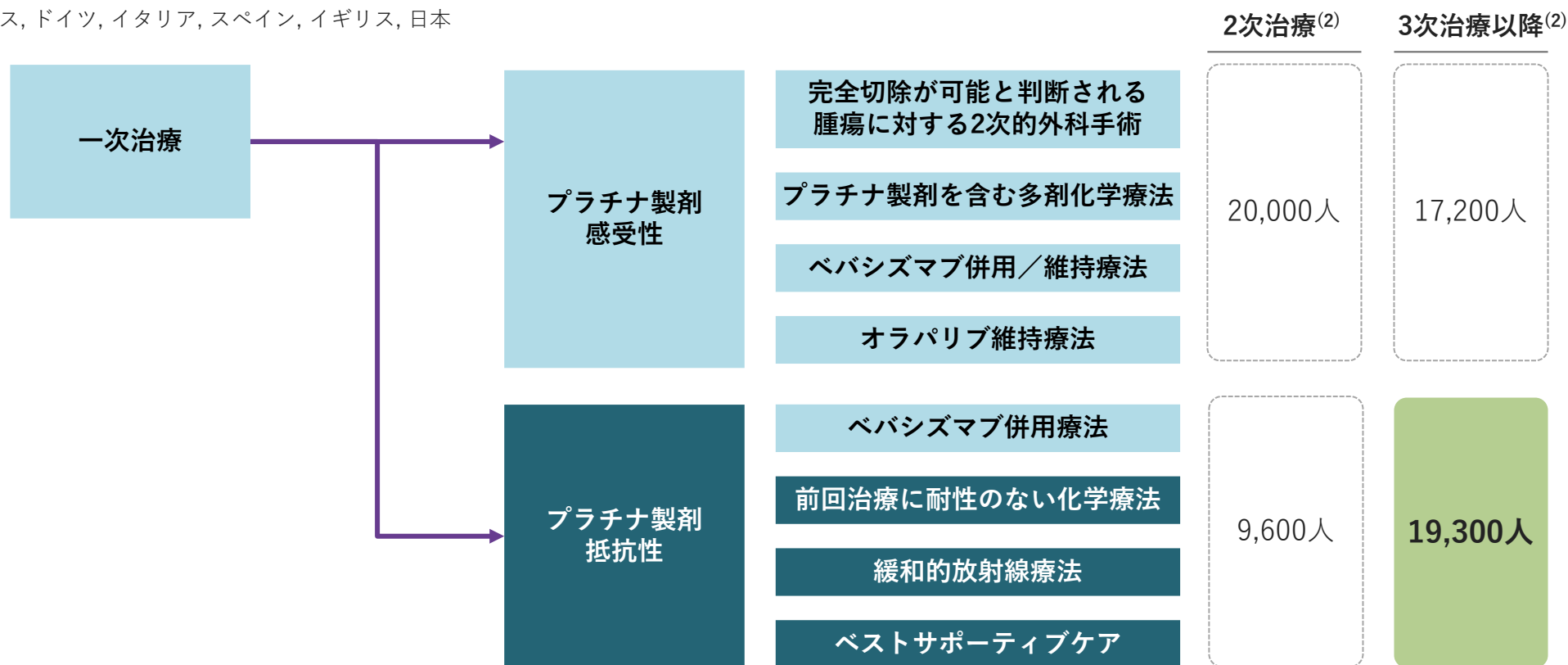
- (1) AML 2nd LineとしてのCTX-712の潜在的な市場規模(Serviceable Available Market)を推計するためのイメージであり、当社グループが2024年8月現在で営む事業に係る客観的な市場規模を示すものではない。また、本スライドに記載の数字は、外部の調査資料等を参照して当社が推計したものであり、その正確性にはかかる調査資料等や推計に固有の限界があるため、上記の推計と実際の市場規模とは大きく異なる可能性がある
- (2) P23資料を参照。ただし、患者数はGlobal Data 2020における2029年時点の推定患者数を採用
- (3) Global Data 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



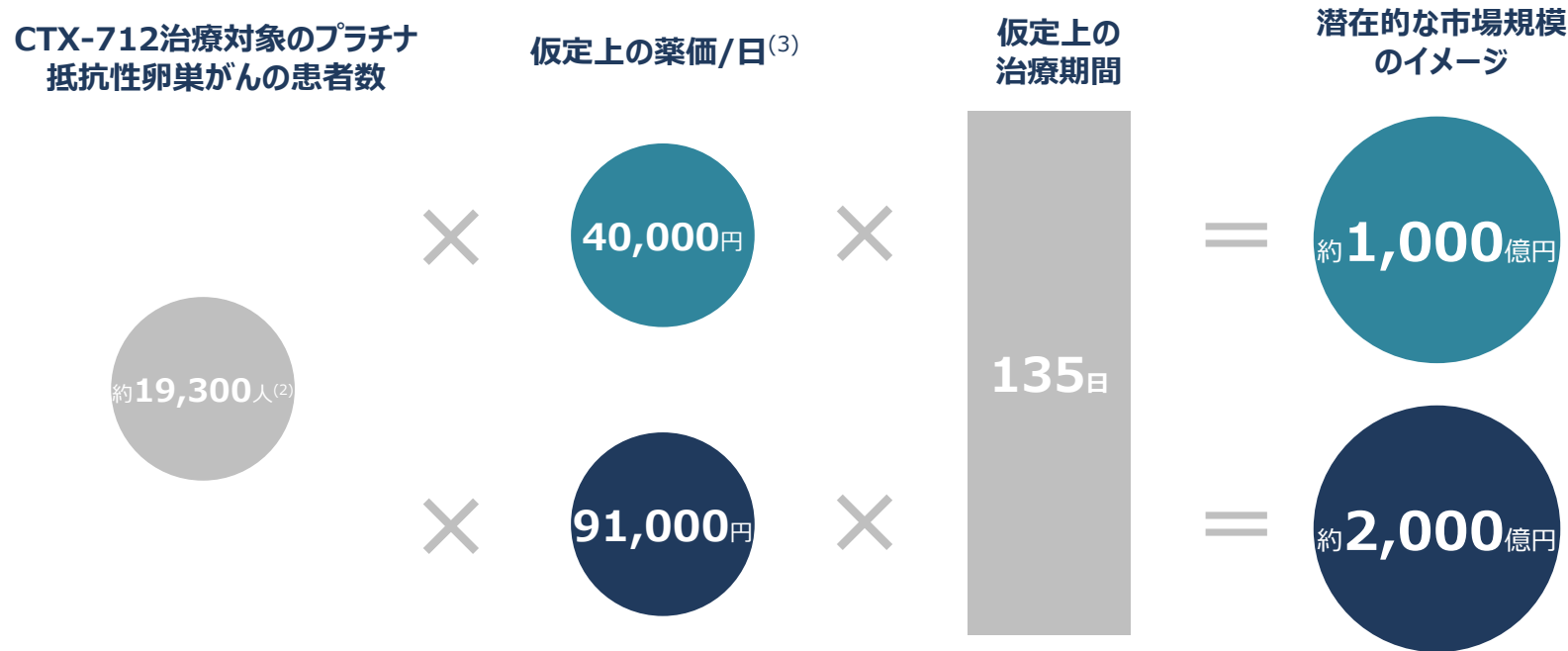
(1) 卵巣がん・卵管癌・腹膜癌治療ガイドライン2020年版 | 公益社団法人 日本婦人科腫瘍学会 (jsgo.or.jp)

(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8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

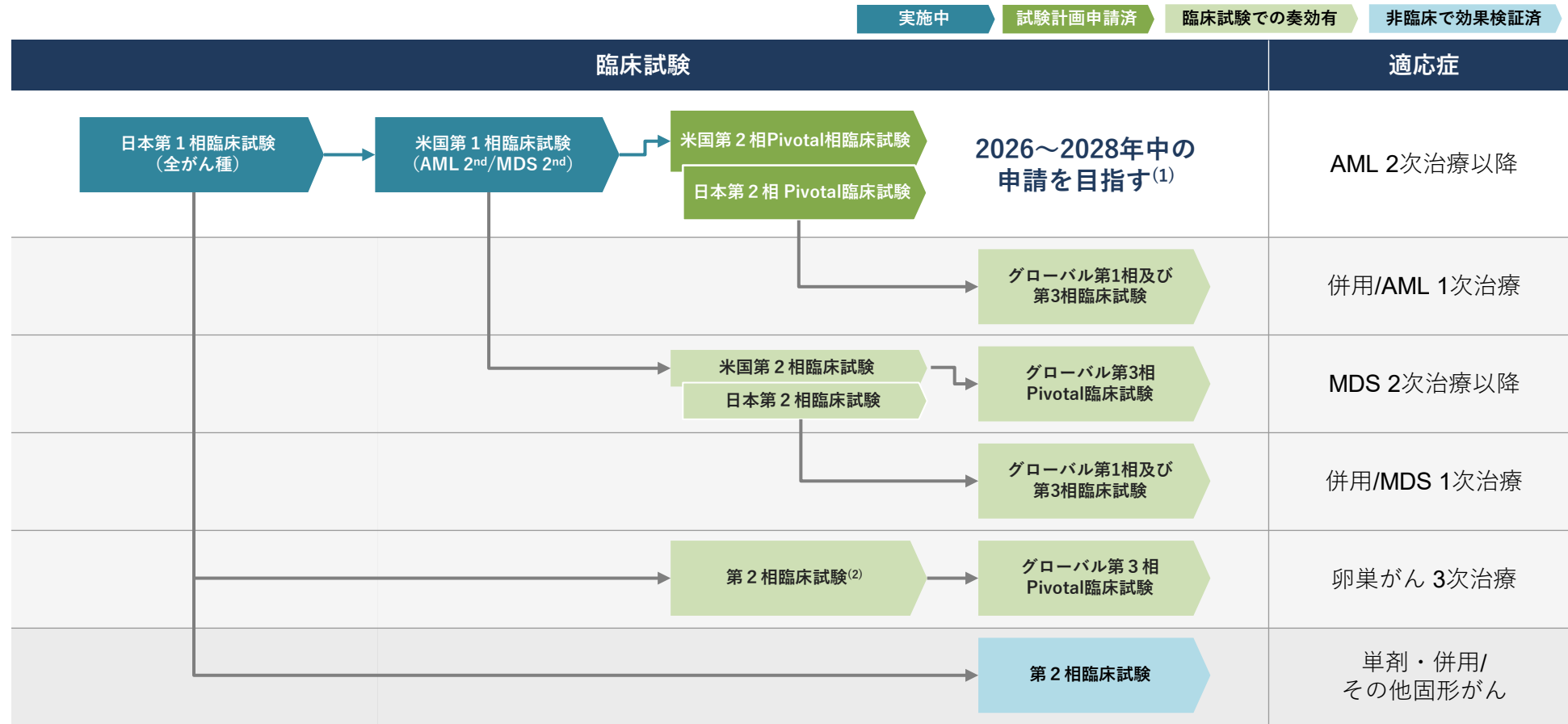
(2) P25資料を参照。患者数はGlobal Data 2019における 3rd Line、4th Lineおよび 4th Line Switch over 2028年時点の推定患者数を採用

(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中期的に目指す

- 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

最初に承認を目指すAMLでは複数の新薬が第2相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。現時点では、SYNDAX社、KURA社がPhase2の結果を基に承認申請を行う

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	1 st 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
	2 nd 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 Agios Pharma (Acquired by Servier.)	2019	Phase 2	Fast track
		IDH2	IDHIFA (enasidenib)	Agios 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

CTX-712のマイルストーン達成状況と今後の想定マイルストーン

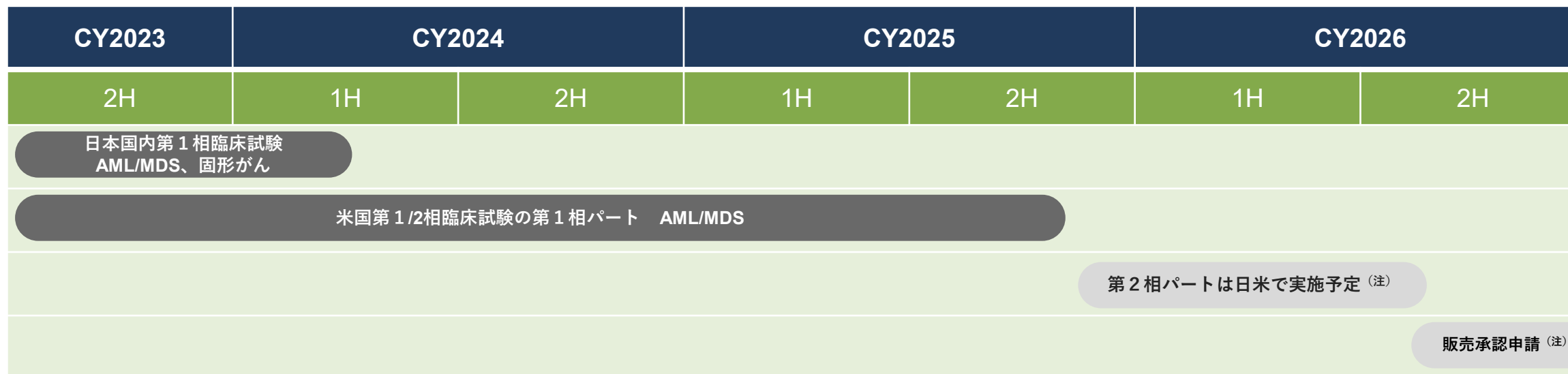
2024年8月時点での達成状況

- 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-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 2025 CTX-712 の米国臨床試験の第1相中間成績公表
- 2H 2025 CTX-712 の日本／米国臨床試験の第2相試験開始
- 2026 CTX-712 の日本／米国臨床試験の第2相データ取得
- 2026 - 2028 CTX-712の日本での販売承認申請

: 実施中



(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

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8月31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	BH30236	BlossomHills Therapeutics	第1相臨床試験
CLK	—	Redna 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)

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。

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 Innvation、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。

(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

CTX-712の物質特許 すでに世界主要各国での登録を完了

●CTX-712の物質特許については、世界51カ国で権利化済み

アジア（6）

日本
中国
香港
インド
韓国
シンガポール

アメリカ（3）

米国
ブラジル
カナダ

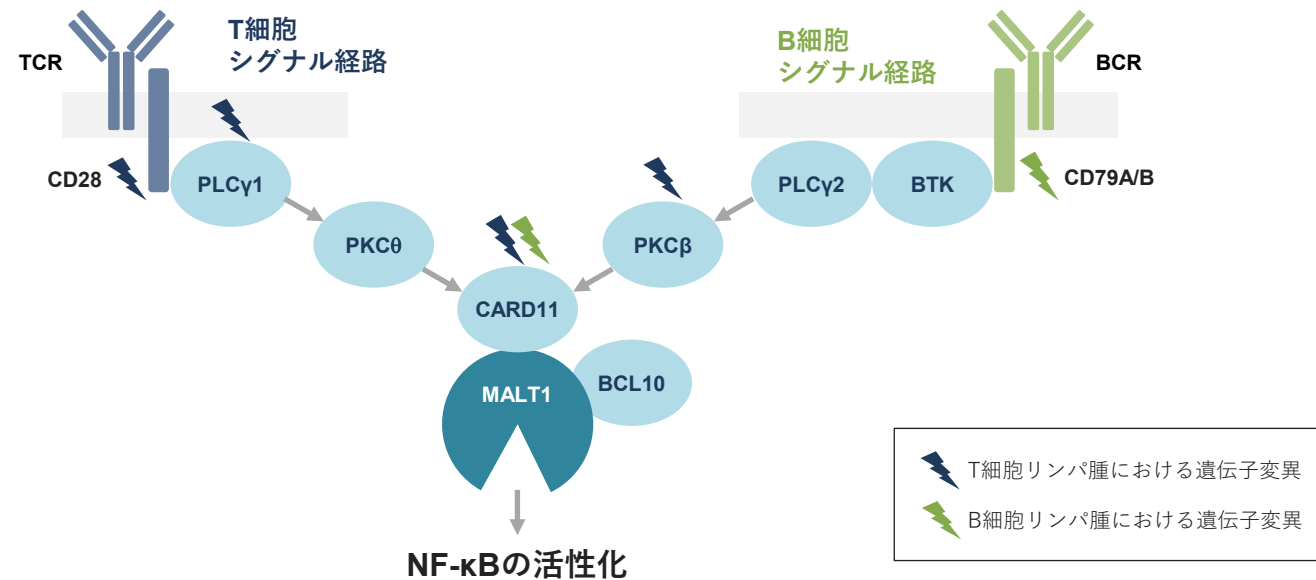
欧州・その他（42）

アルバニア	アイスランド	サンマリノ
オーストリア	イタリア	トルコ
ベルギー	リヒテンシュタイン	ボスニアヘルツェゴビナ
ブルガリア	リトアニア	モンテネグロ
スイス	ルクセンブルグ	モロッコ
キプロス	ラトビア	ロシア
チェコ共和国	モナコ	
ドイツ	北マケドニア	
デンマーク	マルタ	
エストニア	オランダ	
スペイン	ノルウェー	
フィンランド	ポーランド	
フランス	ポルトガル	
イギリス	ルーマニア	
ギリシャ	セルビア	
クロアチア	スウェーデン	
ハンガリー	スロベニア	
アイルランド	スロバキア	

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 とその特徴

- MALT1阻害薬はTCRまたはBCR経路に活性型遺伝子変異を有するリンパ腫に対して、単剤あるいは他剤との併用により抗腫瘍効果を示すと期待される
- MALT1阻害薬は免疫チェックポイント阻害薬の不応答性の要因となることが報告されている制御性T細胞を減少させる効果を有していることから、免疫チェックポイント阻害薬との相乗的作用を示す併用薬としても期待される

*イメージを示すためのみのものです。当社作成

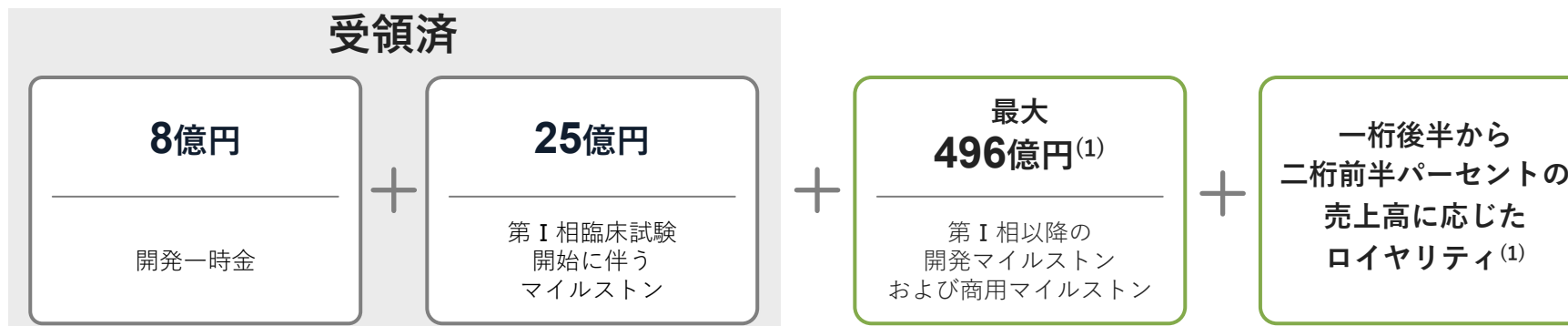
(1) RNA制御ストレスとは関連しない

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

Opzuviteを開発した小野薬品に最大500億円超の条件で導出

- 現在、小野薬品がONO-7018の開発名で米国で第1相臨床試験中（ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05515406）
- MALT 1 阻害薬CTX-177は、BTK阻害薬との併用効果が期待される⁽²⁾

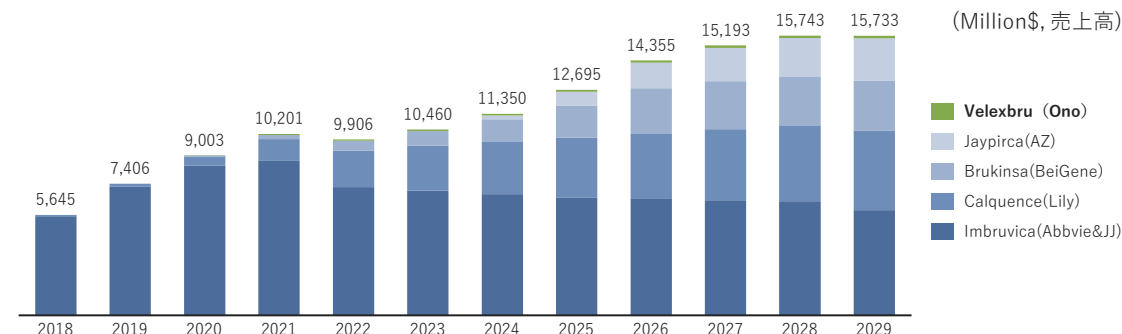
小野薬品とのライセンス契約の経済条件



ONO-7018(CTX-177)の開発進捗状況

- 2022年8月、米国において再発または難治性の非ホジキンリンパ腫、もしくは慢性リンパ性白血病の患者を対象に第 1 相臨床試験を開始
- 2024年6月、米国臨床腫瘍学会において『A phase I, first-in-human study of ONO-7018 in patients with relapsed/refractory non-Hodgkin lymphoma or chronic lymphocytic leukemia』を発表

BTK阻害薬の抗がん薬における市場規模⁽³⁾



(1) 小野薬品と当社との間で締結された契約に定められた当社が受領する権利を有するマイルストンの最大金額およびロイヤリティの割合。ロイヤリティを当社が受け取ることができる期間は契約に定められた期間に限定される。マイルストーンおよびロイヤリティを当社が受領するためには、契約に詳細が定められた条件を充足する必要がある。契約に詳細が定められた条件が充足されない場合には、当社はマイルストンの最大金額もしくは一切を、またはロイヤリティの一切を受領できない可能性がある。(2)2022 ASH Presentation abstract # 4000、(3) Clarivate社のCortellis Analysis Forecastより19-Apr-2024時点データより引用。CTX-177と併用されることが期待されるBTK阻害薬の市場規模を示すものであり、CTX-177の市場規模及びその予測を示すものではない

競争環境

MALT1阻害薬における競合他社（当社の見解） 2024年8月31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

アカデミアを中核として11件の共同研究を実施

- AMEDからの助成金も活用しながら、具体的なパイプラインの研究・開発を進める共同研究に加えて、新たなプラットフォーム開発に対しても積極的に取り組んでいる



共同研究を実施



AMEDの助成金に採択された研究課題に対して研究分担者として参加



4件の物質特許とそれを支える複数の用途特許・製法特許

- 武田薬品工業からライセンスを受けた物質特許が十分に特許期間を有していることに加え、臨床入りしているプログラムでは用途特許や製法特許の取得による知財権利の確保を推進

物質特許

	出願番号	基礎出願日	国際公開日	国際公開番号	登録済国数	特許権者
CTX-712 (CLK阻害薬)	PCT/JP2017/016717	2016年4月28日	2017年11月2日	WO2017/188374	51	武田薬品工業
	PCT/JP2023/013361	2022年3月31日	2023年10月5日	WO2023/190967	—	当社および 国立がん研究センター
	特願2024-003374 (国際出願前)	2024年1月12日	—	—	—	当社
CTX-177 (MALT1阻害薬)	PCT/JP2019/046261	2018年11月28日	2020年6月4日	WO2020/111087	11	武田薬品工業
	PCT/JP2021/019911	2020年5月27日	2021年12月2日	WO2021/241611	—	武田薬品工業
	PCT/JP2023/003154	2022年2月2日	2023年8月10日	WO2023/149450	—	当社および 小野薬品工業
CTX-439 (CDK12阻害薬)	PCT/JP2019/013531	2018年3月29日	2019年10月3日	WO2019/189555	4 および 1 地域	武田薬品工業
— (GCN2阻害薬)	PCT/JP2017/028928	2016年8月10日	2018年2月15日	WO2018/030466	6	武田薬品工業

目次

1.	会社概況	P. 3
2.	パイプラインの概況	P. 16
3.	2024年8月期業績および2025年8月期業績予想	P. 38
4.	事業の振り返りと今後の見通し	P. 43

サマリー

2024年8月期 通期実績

CTX-177のマイルストーン収入および他パイプラインの導出未実施の事業収益はゼロ 経常損失額としては、18億円の赤字

- MALT1阻害薬CTX-177および他パイプラインの導出による事業収益は、発生しなかった
- 研究開発費は、CLK阻害薬CTX-712の臨床試験の加速化を注力し、他パイプラインの研究を内製化することで、2023年の研究開発費は前年同期比-4億円の15億円が発生（予算対比で-4億円）
- 最終損益としては、18億円の損失

2025年8月期 業績予測

MALT1阻害薬CTX-177におけるマイルストーンおよび他パイプラインの導出について、 具体的な計画を現時点では有しておらず、事業収益は見込まない

- MALT1阻害薬CTX-177および他パイプラインの導出による事業収益は、現時点では見込まない。ただし、各種導出活動については積極的に取り組み、開示できるタイミングで適切に開示を行う想定
- 研究開発費は、引き続きCLK阻害薬CTX-712の臨床試験の米国試験への注力をしつつ、他パイプラインは内部リソースを活用した価値増大活動に注力することで前年同期比+5億円の20億円を見込む
- 最終損益としては、23億円の損失を見込む

2024年8月期末の財政状態（貸借対照表）

- 2024年6月の上場により当期分の経常損失分が補填される形となり、ほぼ横ばいで推移

単位：百万円

	2023年8月期末 残高	2024年8月期末 残高	増減
流動資産	4,891	4,605	-286
現預金	4,799	4,329	-469
固定資産	17	26	+9
資産合計	4,909	4,632	-276
流動負債	408	471	+62
固定負債	0	0	0
負債合計	408	471	+62
純資産合計	4,500	4,161	-339
負債及び純資産合計	4,909	4,632	-276

2024年8月期のポイント

● 流動資産、純資産：

- ・ 現預金と純資産：当期分の経常損失分による減少分が上場による第三者割当増資により補填

● 流動負債：

- ・ 未払法人税：増資による資本金増加による未払法人税（外形標準課税）増加

2024年8月期の業績（損益計算書）

- 2023年8月期に計上された小野薬品工業株式会社からのマイルストーン収入がなくなったため赤字転換。R&D費用については、CTX-712の臨床試験は増加したが、それ以外のコストが圧縮されたためほぼ横ばいに推移

単位：百万円

	2023年8月期 通期実績	2024年8月期 通期実績	増減
事業収益	2,500	-	- 2,500
直接費	0	0	0
R&D費用	1,996	1,499	- 497
CTX-712	686	1,018	+ 331
CTX-177	3	0	- 2
CTX-439	616	132	- 483
その他（含む人件費）	690	347	- 342
その他一般管理費	291	301	+ 10
営業利益／損失	212	- 1,801	- 2,013
営業外収益	26	17	- 8
営業外支出	12	41	+ 28
税引前当期純利益／損失	225	- 1,824	- 2,050
法人税等	2	2	+ 0
当期純利益／損失	223	- 1,827	- 2,050

2024年8月期のポイント

● CTX-712（CLK）：

- 日本における第1相臨床試験の症例登録を完了（固形がん46例、血液がん14例）
- 米国での第1/2相臨床試験において、20症例を登録

● CTX-177（MALT1）：

- 米国試験の概要について2024年6月での米国臨床腫瘍学会（ASCO）にて小野薬品米国試験の概要について2024年6月での米国臨床腫瘍学会（ASCO）にて小野薬品工業株式会社が発表

● CTX-439（CDK12）：

- 臨床試験開始に向けての安全性試験や治験原薬の製造を終え、次のフェーズの準備を進めている

2025年8月期の業績見通し

- CTX-712の臨床試験の推進を最優先して進めていく想定。想定よりも症例登録の進捗状況および当局との交渉に応じた費用変動に対しては適宜対応をしていく想定

単位：百万円

	2024年8月期 通期実績	2025年8月期 通期：計画	増減
事業収益	-	-	-
直接費	0	0	0
R&D費用	1,499	2,025	+ 525
CTX-712	1,018	1,610	+ 592
CTX-177	0	0	- 0
CTX-439	132	18	- 114
その他（含む人件費）	347	396	+ 49
その他一般管理費	301	408	+ 107
営業損失	- 1,801	- 2,434	- 633
営業外収益	18	56	+ 38
営業外支出	41	0	- 41
税引前当期純損失	- 1,824	- 2,378	- 553
法人税等	2	2	0
当期純損失	- 1,827	- 2,380	- 553

2025年8月期における研究計画

● CTX-712 (CLK) :

- ・日本での第1相臨床試験の完了
- ・米国での第1/2相臨床試験の第1相パートを実施し、権威ある国際学会において当該データを発表を計画

● CTX-177 (MALT1) :

- ・小野薬品工業株式会社において全費用を負担のうえで臨床試験を継続

● CTX-439 (CDK12) :

- ・他外部委託研究費についてはAMEDからの助成金を受けた活動のみ利用想定

● その他一般管理費 :

- ・欧州特許の各国権利化

● 参考) 営業外収益 :

- ・合計5つのAMEDからの助成金を再委託で受託する想定

目次

1.	会社概況	P. 3
2.	パイプラインの概況	P. 16
3.	2024年8月期業績および2025年8月期業績予想	P. 38
4.	事業の振り返りと今後の見通し	P. 43

研究開発・コーポレート活動ともに順調に進行

<2024年8月期>

研究開発

CTX-712

日本

第1相臨床試験

合計**60**名
症例登録を完了

第1相臨床試験の
全症例での中間成績

2024年4月
米国がん学会で発表

海外

第1/2相臨床試験
症例登録数

3名 → **20**名
※昨年8月末比較

CTX-177

海外

第1相臨床試験概要

米国臨床腫瘍学会で
小野薬品工業が発表

コーポレート活動

東京証券取引所グロース市場に上場 ※2024年6月

日本スタートアップ大賞文部科学大臣賞を受賞

2025年8月期に向けての優先事業目標

1

CTX-712(CLK阻害薬) 承認に向けた臨床試験の 進捗

- オーファンドラッグの申請及び獲得
- 国際一般名称のWHOからの承認獲得
- 臨床試験の症例数の追加
- 大手国際学会において、米国での第1 / 2相臨床試験の第1相パートの中間報告へ向けた推進

2

新規事業提携に関する積 極的な取り組みを行う

- CTX-712の可能性に加え、CTX-439, GCN2の事業提携の可能性について探り、良い経済条件を獲得できるようであれば、早期の契約も視野に入れてリレーションを築く
- 事業提携について常にコミュニケーションを行っているため、具体的な内容が固まったタイミングで適切に開示を行う

3

株主に対しての情報開示 を適切に実行する

- 研究の進捗については、国内および国際学会での発表で開示し、少なくとも年間1回以上の学会での発表を行うこととする
- 事業の状況については、投資家コミュニケーションを重要事項として認識し、投資家向けセミナーの開催、メディアでのCEOのメッセージは密に行うこととする

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

当社の情報開示の方針について

- ・データの発表などは学会の許可を得てからの情報公開となりますが、可能な限り速やかな情報開示を行ってまいります。
- ・個別の質問に対する回答は、フェアディスクロージャーの観点から、控えさせて頂いております。
- ・IRに寄せられた質問に関しては、社内で協議のうえ、適切なタイミングにてホームページ上の「IRよくある質問」ページに回答を追加していきます。

免責事項

- 本資料は、関連情報の開示のみを目的として当社が作成したものであり、米国、日本国またはそれ以外の一切の法域における有価証券の売付けの申込みまたは買付けの申込みの勧誘を構成するものではありません。
- 米国、日本国またはそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録もしくは届出またはこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集または販売を行うことはできません。
- 本資料の作成にあたり、当社は当社が入手可能なあらゆる情報の真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としていますが、その真実性、正確性あるいは完全性について、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。
- 将来の業績に関して本プレゼンテーション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、これに限りませんが「信じる」、「予期する」、「計画」、「戦略」、「期待する」、「予想する」、「予測する」または「可能性」や将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます。
- 将来予想に関する記述は、現在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います。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、実際の業績は将来に関する記述に明示または黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。したがって、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。
- 新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更または訂正する一切の義務を当社は負いません。

