事業計画及び成長可能性に関する事項の開示

2024年11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.

次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」については2025年11月に開示する予定です。

経営方針

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実施権を獲得 • 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

多様性と高い専門性を持つガバナンス体制

●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

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

概要	基礎研究	探索研究	前臨床研究	臨床研究 第１相	臨床研究 第２相	臨床研究 第３相	製造・販売
	創薬ターゲットの探索、治療メカニズムなど研究	薬理効果を確認、適切な医薬品候補化合物を探索	選択した医薬品候補が、ヒトへの投薬に適するか検討	ヒトでの安全性について検証	少数のヒトに対して効果を検証	標準治療との比較しての効果を検証	医薬品を卸売業者などを通じて、医療機関に対して販売

プレイヤー

- 製薬会社
- アカデミア ↔ Chordia Therapeutics 株式会社
- 研究業務委託、製造開発委託、臨床開発委託（CRO、CDMOなど）
- 日本においては自社対応を検討 ↔ メディパルホールディングス シオノギファーマ他

パイプラインの商品価値

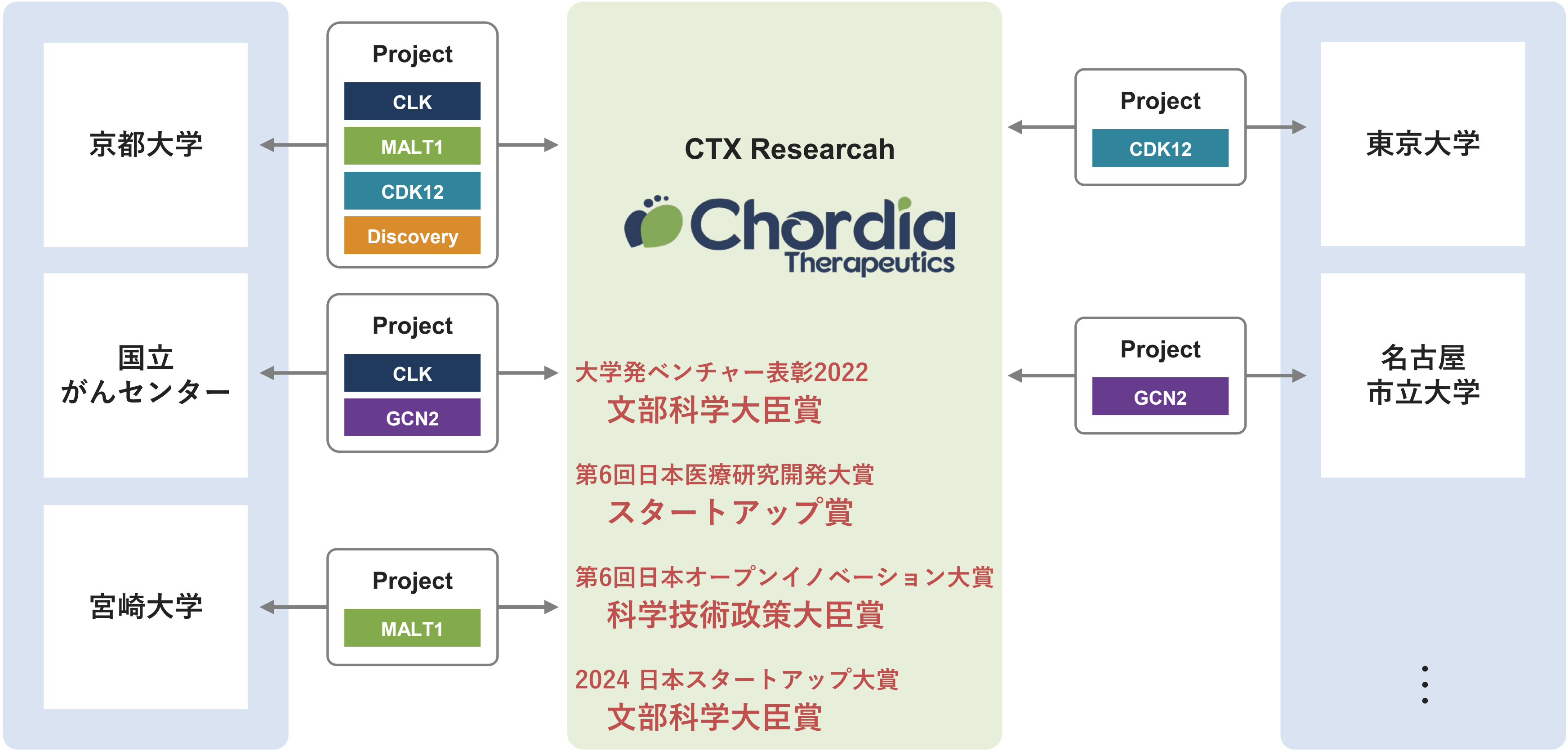
急上昇期

パートナリングのタイミング

パイプラインの価値、費用、競合状況などに鑑み、基本形としては価値が向上する第２相の段階の前後でパートナリングの可能性を検討する

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



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

CTX-712	CTX-177	CTX-439	GCN2阻害薬	プラットホーム
国立がん研究センター	京都大学 宮崎大学 国立がん研究センター	京都大学 東京大学 三重大学	名古屋市立大学	京都大学 富士通

共同研究を実施

Chordia Therapeutics

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

CTX-712	非臨床パイプライン	新規パイプライン	プラットホーム	プラットホーム	プラットホーム
京都大学 （研究代表）	東京大学 （研究代表）	京都大学 （研究代表）	京都大学 （研究代表）	京都大学 （研究代表）	国立がん研究センター （研究代表）

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おいている

– 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

前臨床プログラム　臨床プログラム

	プログラム名（ターゲット）	主要適応がん種		開発状況と開発タイムライン（探索研究／前臨床研究／第１相臨床試験／第２相臨床試験／第3相臨床試験／申請）	開発及び商用化の権利
Takeda由来	CTX-712（CLK）	急性骨髄性白血病(AML)、骨髄異形成症候群(MDS)	日本（CL-01）	登録症例数：14例	Chordia Therapeutics
			米国（CL-02）	24/８月末時点での登録症例数：20例	
		卵巣がん	日本（CL-01）	登録症例数：14例	
			米国		
		その他固形がん	日本（CL-01）	登録症例数：32例	
			米国		
Takeda由来	CTX-177[1]（MALT1）	リンパ系腫瘍	米国	24/８月時点での登録症例数：非開示	小野薬品工業
Takeda由来	CTX-439（CDK12）	固形がん			Chordia Therapeutics
Takeda由来	GCN2	血液がん、固形がん			Chordia Therapeutics
自社開発	新規パイプライン	血液がん、固形がん			Chordia Therapeutics

自社開発または パートナリングを目指す（CTX-712）

自社開発または パートナリングを目指す（CTX-439、GCN2、新規パイプライン）

Before CS[2]　CS　IND[3]　LPI[4]　IND　LPI　IND　LPI

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。

(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）

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低分子抗がん薬を開発する

製薬会社で創薬手法が
確立されている

低分子化合物*

今までにない
革新的な新薬

ファースト
インクラス(2)

がん細胞個別の特性に
合わせたアプローチ

プレシジョン
オンコロジー

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

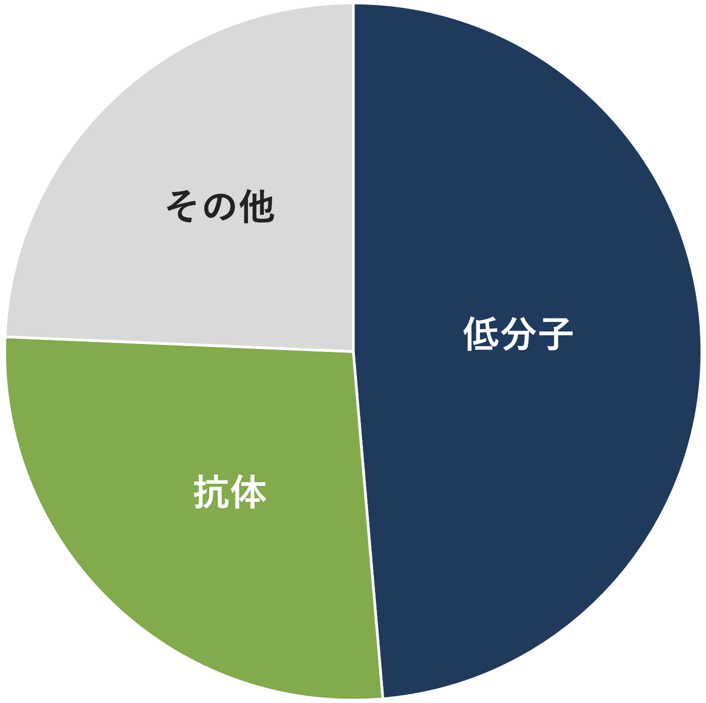
当社のポジショニング～低分子化合物創薬

●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

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

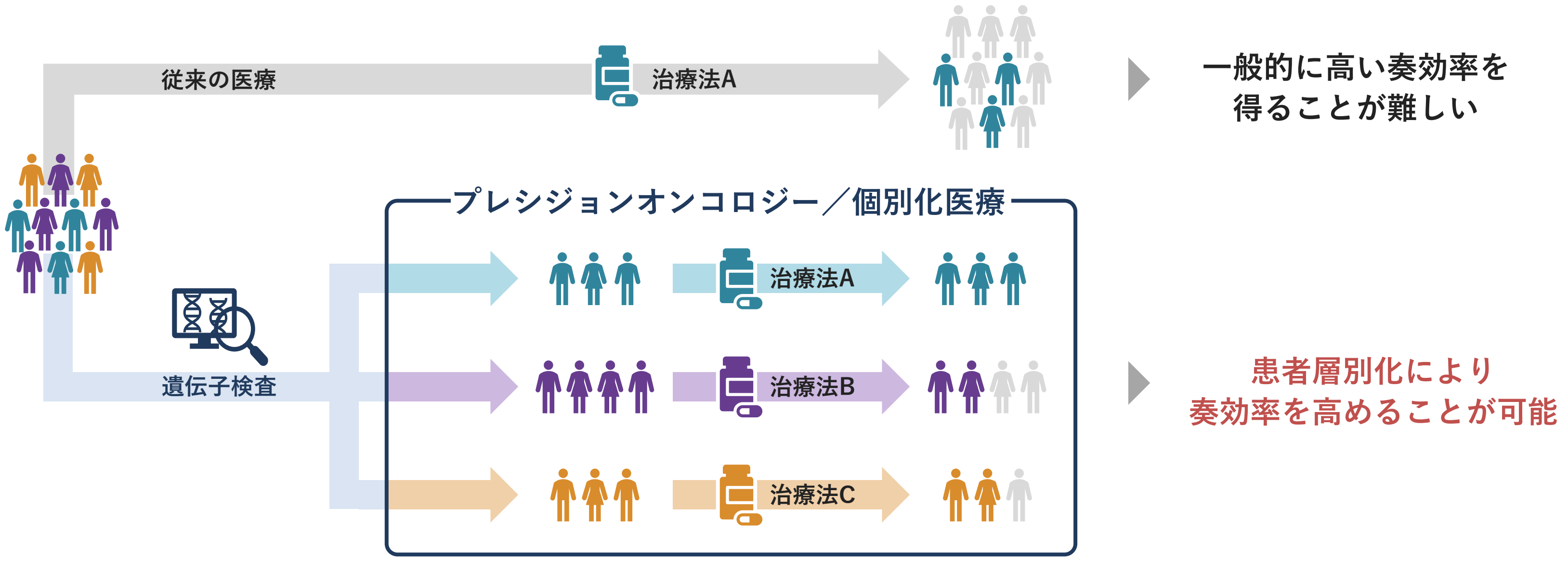
新しい作用機序であるため、安全性、有効性の予測が難しい	今までの治療薬で効果が出なかった患者に対して大きく効果がある可能性もある	初めて市場に出るため、マーケットを大きく席巻できる可能性がある	新規性が高く難易度が高いため、高い薬価が期待できる

▼

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～プレシ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



プレシ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)	CTX-177(MALT1)	CTX-439(CDK12)
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）	**小野薬品に導出済みのため非公開**	**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

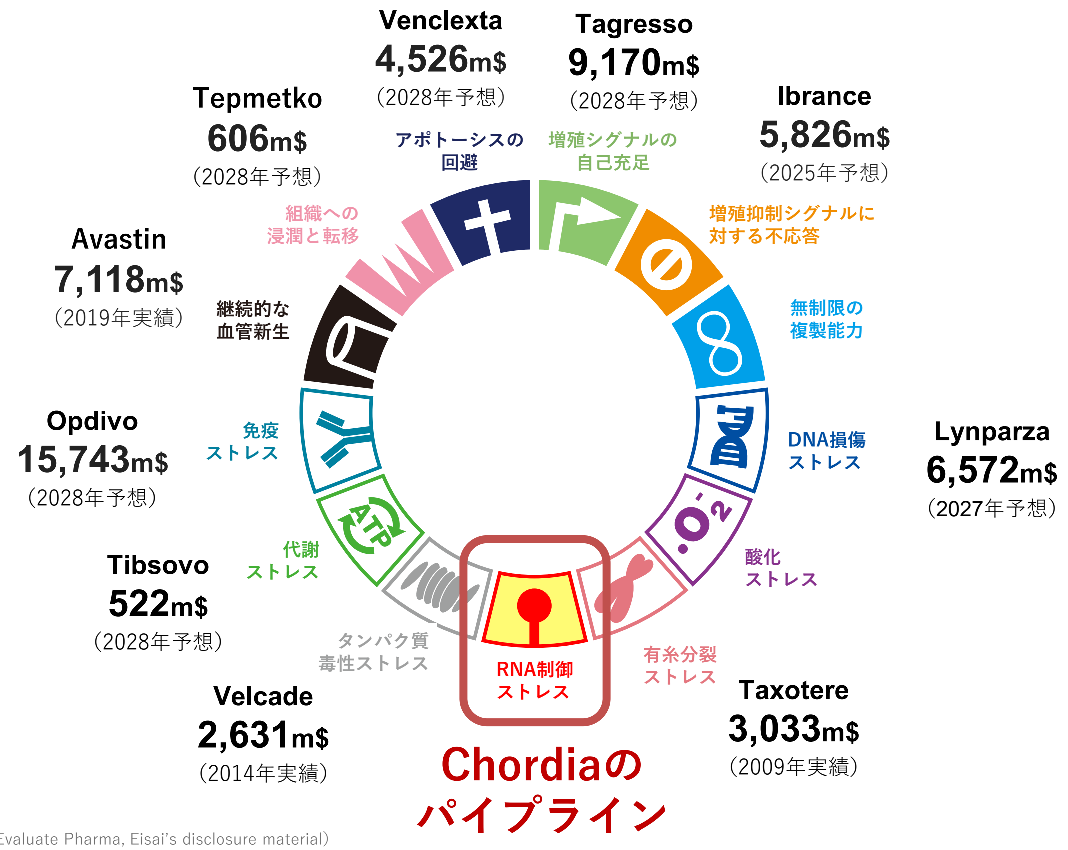
1. 事業概要
2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
3. パイプラインの特徴
4. 事業計画

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

RNA制御ストレスはブルーオーシャン

- 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

<u>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</u>

	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、マントル細胞リンパ腫
Chordiaのパイプライン	-	Chordia Therapeutics CDK12（CTX-439）	Chordia Therapeutics CLK（CTX-712）	Chordia Therapeutics New	Chordia Therapeutics 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

アジェンダ

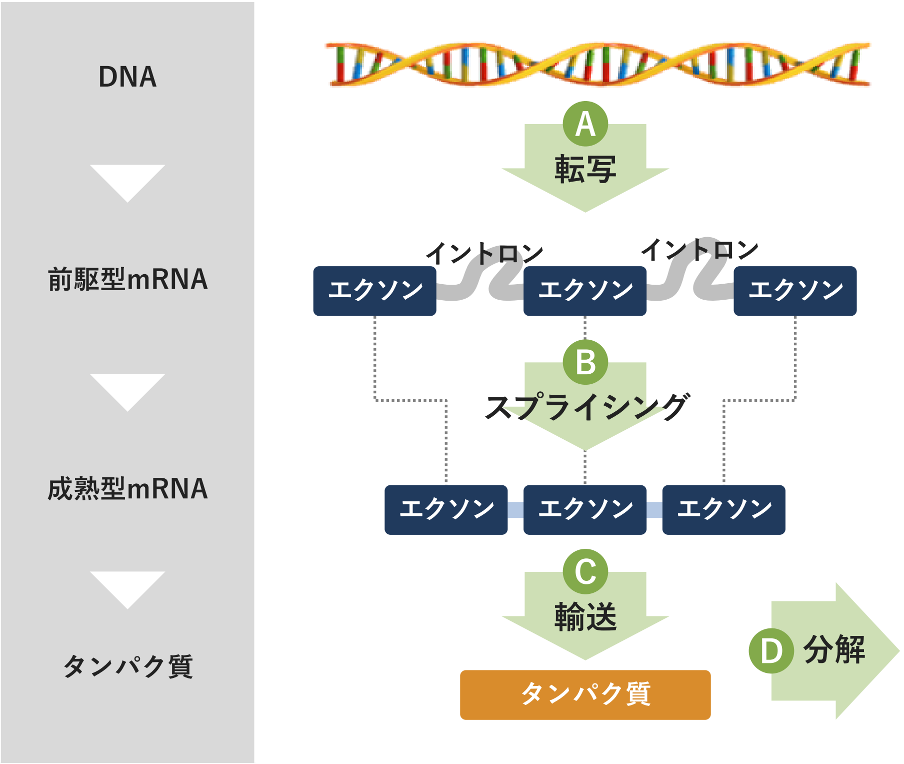
1. 事業概要
2. 当社のR&Dフォーカス：がん細胞のRNA制御ストレス
3. パイプラインの特徴
4. 事業計画

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更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

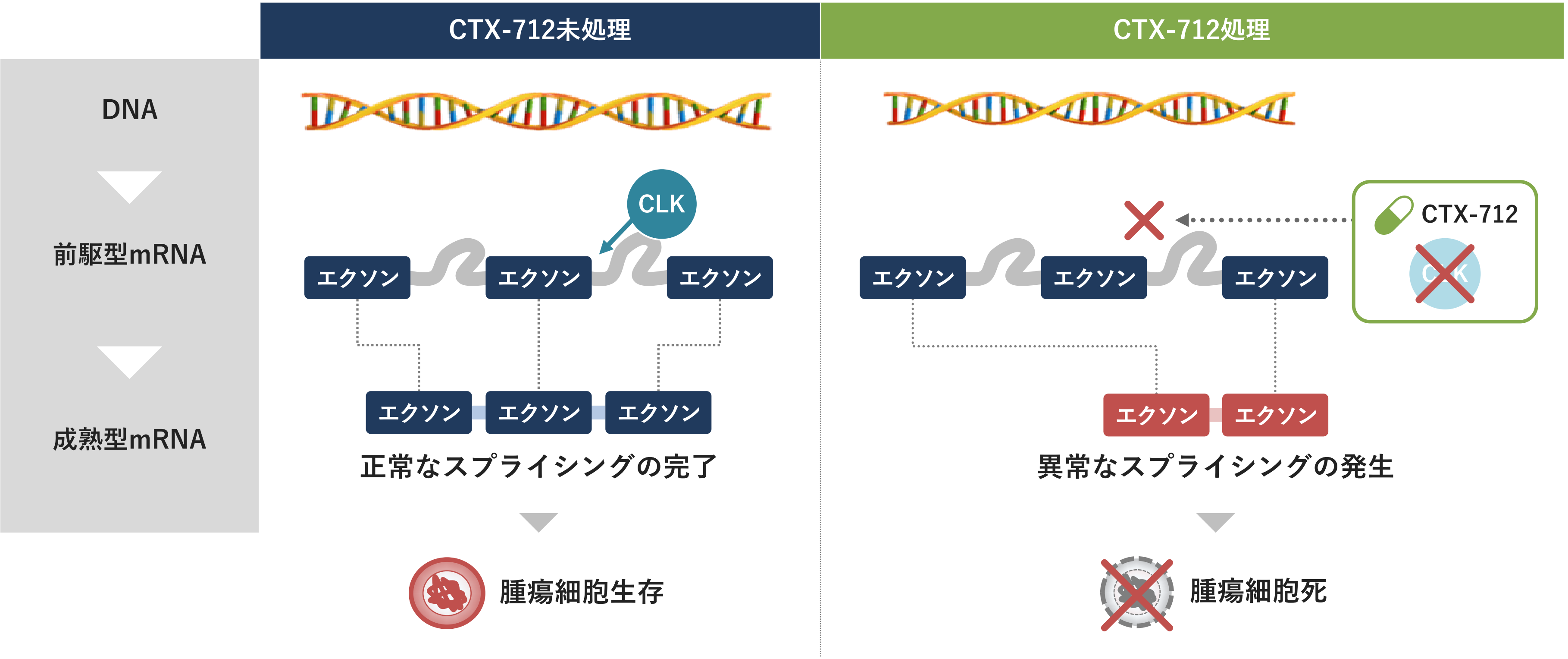
当社パイプライン：新規パイプライン（標的非開示）

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。

*イメージを示すためのみのものです。当社作成

RNA制御ストレスを増大させてがん細胞を死滅させる

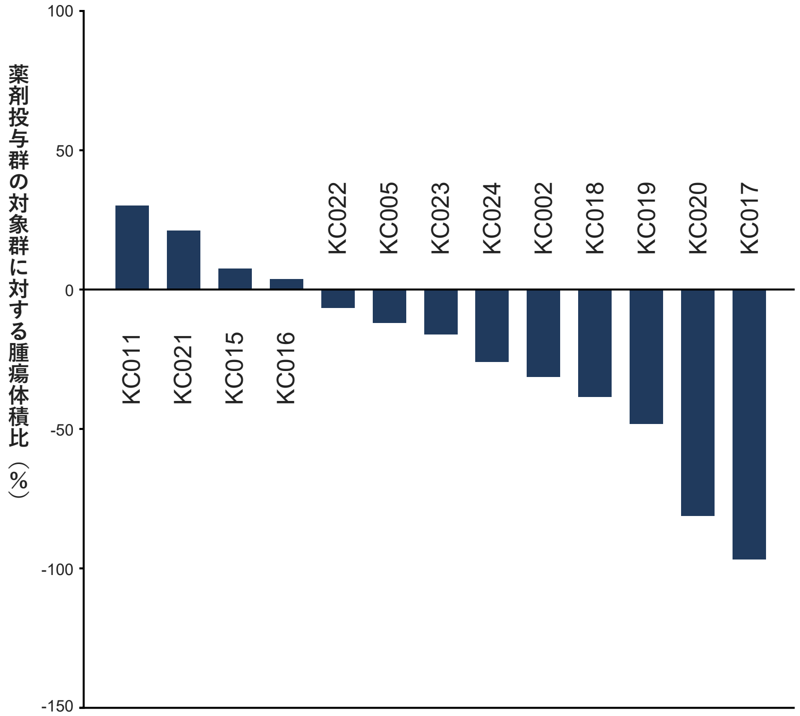
●メッセンジャーRNA生成過程において、不要な箇所を取り除く"スプライシング"が行われる
●CTX-712は異常なスプライシングを誘導することによりRNA制御ストレスを増大させがん細胞を死滅させる



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

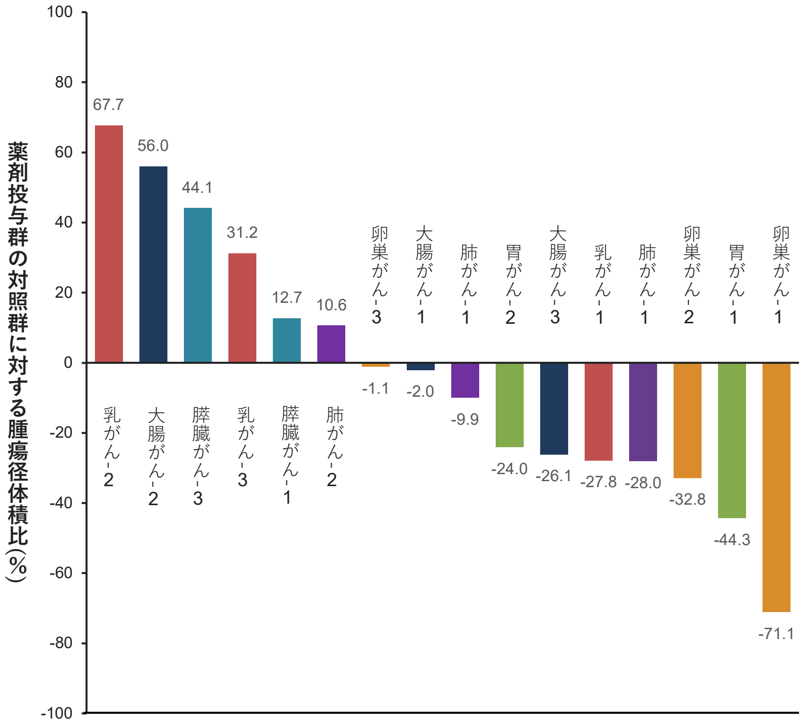
- 急性骨髄性白血病(AML）由来のPDXモデル（患者腫瘍を直接移植した動物モデル）において腫瘍の縮小が認められた（左下図）
- 各種固形がん由来のPDXモデルにおける薬効試験では、特に卵巣がんにおいてより強い腫瘍の縮小が認められた（右下図、黄色）

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

2024年4月時点の公表データ(2024年4月AACR)

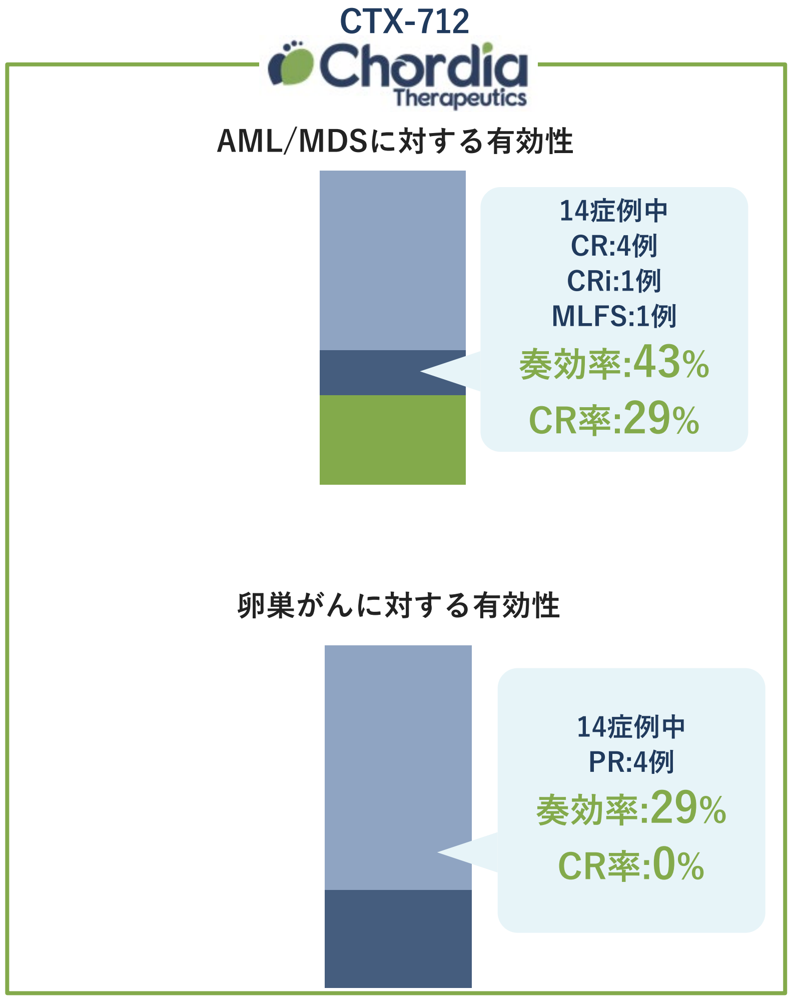
日本国内 第１相臨床試験		有効性	奏効率
	卵巣がん	4 PR(2) （患者数14名）	28.6%
	AML/MDS	4 CR(2) 1 CRi(2) 1 MLFS(2) （患者数14名）	42.9%

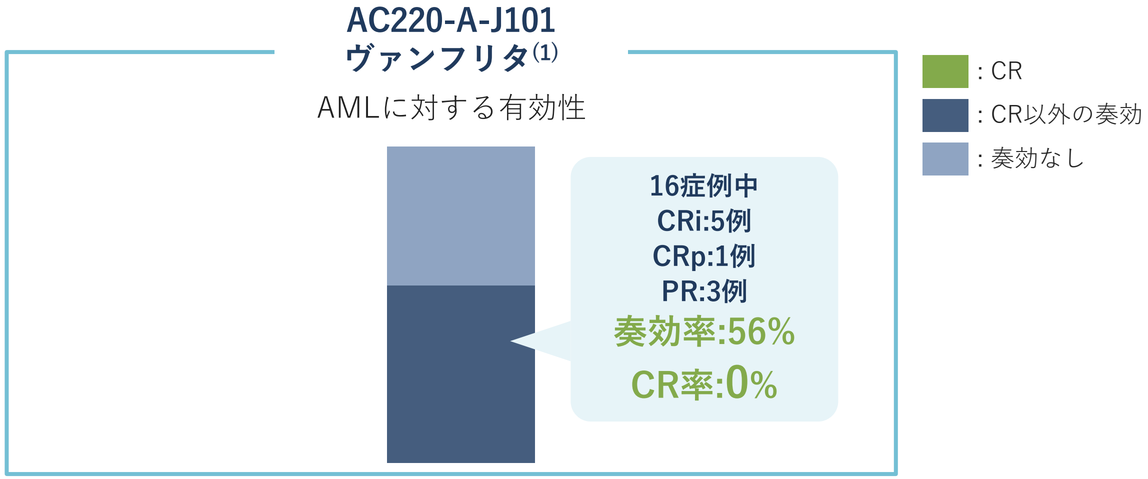
- 臨床で有効例が確認出来たAMLの2次治療以降の臨床開発に注力し、2026~2028年中の承認申請を目指し、迅速承認を狙う戦略(1)
- 現在は米国でのAMLとMDSの第1/2相臨床試験の第1相パート実施中で、2024年8月末時点で20人の患者の登録を実施

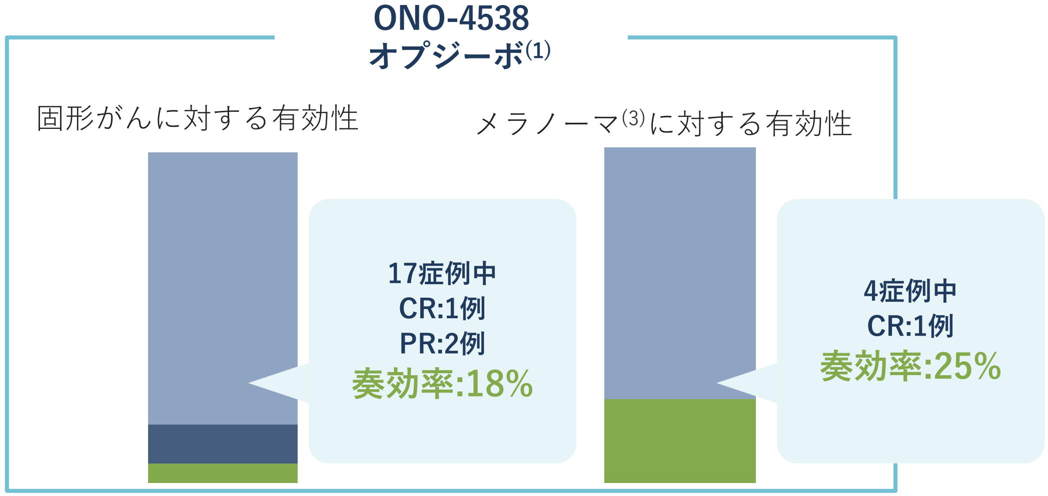
(1)上記の情報には将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見通しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。
(2)CR: Complete Remission(完全寛解)、 CRi: Complete remission with incomplete hematologic recovery（好中球数または血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

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







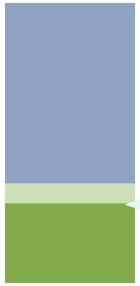
.(1) 出典：ヴァンフリタ、オプディーボのインタビューフォームを参照して、当社作成
(3)メラノーマは、オプジーボにおいて最初に承認を取った疾患領域であって、オプジーボが当初第1相臨床試験を行った疾患領域のうち最も高い有効性が示された疾患領域である

直近でのFDAにて承認・承認申請を行っている治療薬にも比肩しうる

●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

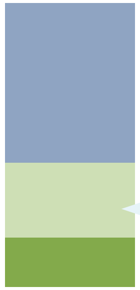
AML

CTX-712（日本P1）
Chordia Therapeutics



14症例中
CR:4例
CRi:1例
CRc率:36%
CR率:29%

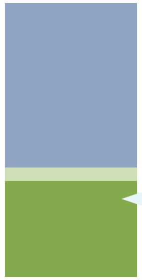
Revumenib(Pivotal P2)
Syndax Pharamceutical



57症例中
CR:10例
CRi,CRh,CRp:15例
CRc率:44%
CR率:18%

P2試験完了／承認審査中

Ziftomenib(P1b)
KURA Oncology

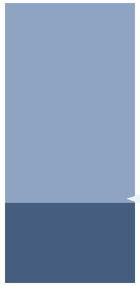


20症例中
CR:7例
CRi:1例
CRc率:40%
CR率:35%

Pivotal P2試験中

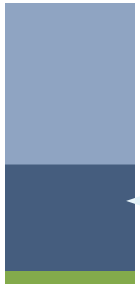
卵巣がん

CTX-712（日本P1）
Chordia Therapeutics



14症例中
PR:4例
奏効率:29%
CR率:0%

Elahere(Pivotal P3)
Abbvie (Past ImmunoGen)



225症例中
CR:11例
PR:84例
奏効率:42%
CR率:5%

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）

: CR
: CRc（複合CR）
: PR（固形）
: 奏効なし

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

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（AML）を最初に狙う適応症として想定している

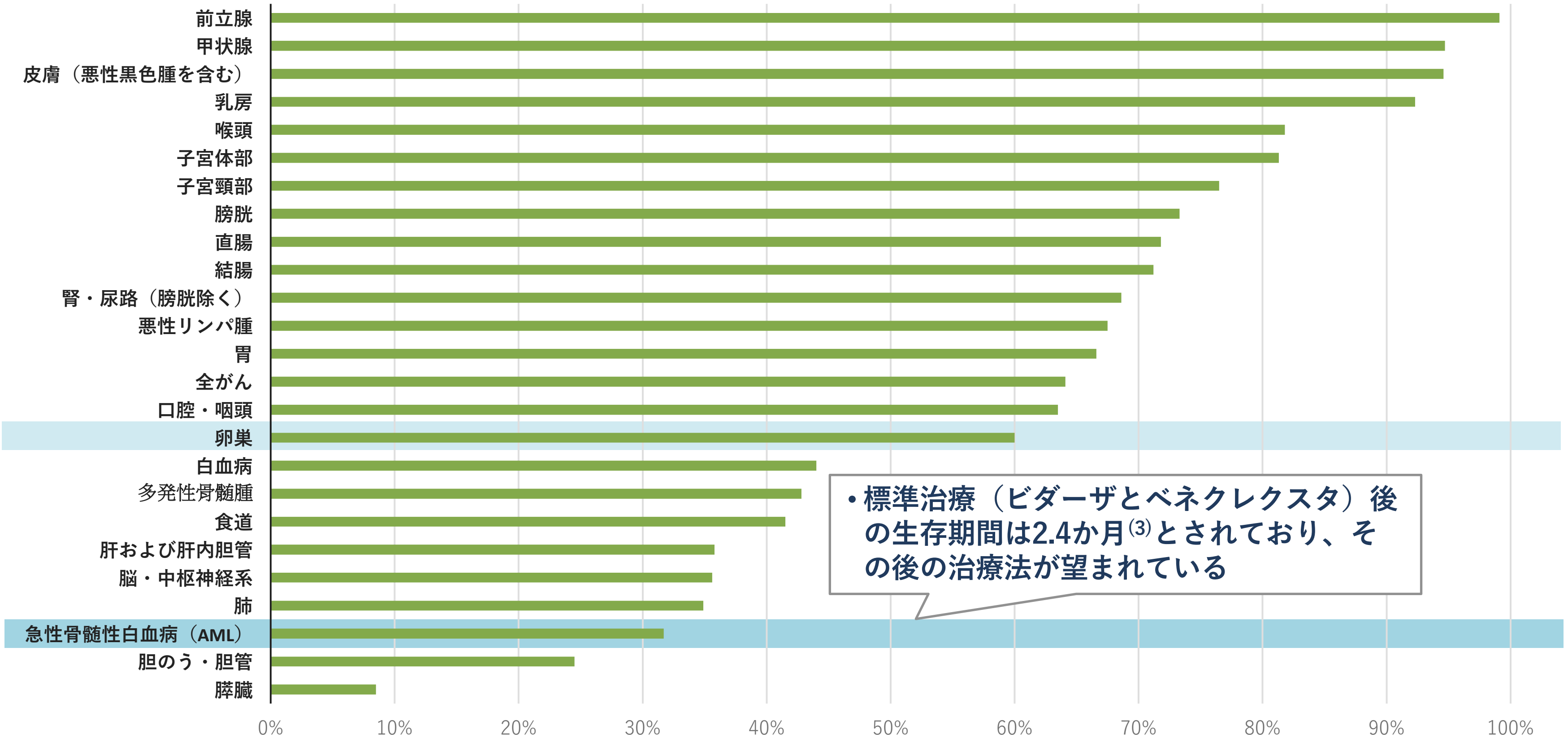
	臨床試験の中間結果	疾患領域に関連する情報 2020年時点の患者数[1)]	疾患領域に関連する情報 特徴（生存率等）	疾患領域に関連する情報 アンメットメディカルニーズ
AML	12症例中 3例のCR 1例のCri 1例のMLFS	• 国内罹患数：約9,000人 • 米国罹患数：約22,000人 • ヨーロッパ5か国罹患数：約13,500人 ※ヨーロッパ5か国（英,仏,独,伊,西	• 診断時年齢の中央値は68歳[2)] • 約60%が65歳以上で診断され[2)]、65歳以上の5年生存率は約9%[3)] • 再発率：30-40%[2-3)] • 米国に比べ日本では治療選択肢が少ない[24)]	• 強力な化学療法は投与回数が限られている • 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	• 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	• 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)]	• 進行癌に対する化学療法は使用回数が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	• 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）	• 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)]	• 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 AcuteMyeloid 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),

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 InstituteSurveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program _Leukemia より
(3) Abhishek Maitiらの報告（Haematologica. 2021 Mar 1; 106(3): 894–898.）

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
承認済み	1st line	SMO	DAURISMO (glasdesib)	Pfizer	2018	Phase 2	Priority review policy
承認済み	1st line	FLT3	RYDAPT (midastaurin)	Novartis	2017	Phase 3	Breakthrough Therapy
承認済み	2nd 以降	FLT3	XOSPATA (giltertinib)	Astellas	2018	Phase 3 (Top line)	Orphan Drug Fast track
承認済み	2nd 以降	FLT3	VANFLYTA (quizartinib)	Daiichi Sankyo	2019 (Japan Only)	Phase 3	Orphan Drug Fast track
承認済み	2nd 以降	IDH1	TIBOSOVO (ivosidenib)	Start up 企業 **Agios Pharma** (Acquired by Servier.)	2019	Phase 2	Fast track
承認済み	2nd 以降	IDH2	IDHIFA (enasidenib)	**Agios Pharm.** (Licensed out to BMS)	2017	Phase 2	Orphan Drug Priority review policy
承認済み	2nd 以降	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

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述べています

- 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ろうと述べています

- 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** – KOL3

<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

出典: 当社が依頼し、CITELINE社がCTX-712の第１相臨床試験結果（公表情報）を基に実施した第三者インタビューより

AMLでは複数の新薬がPhase2で承認を受けている

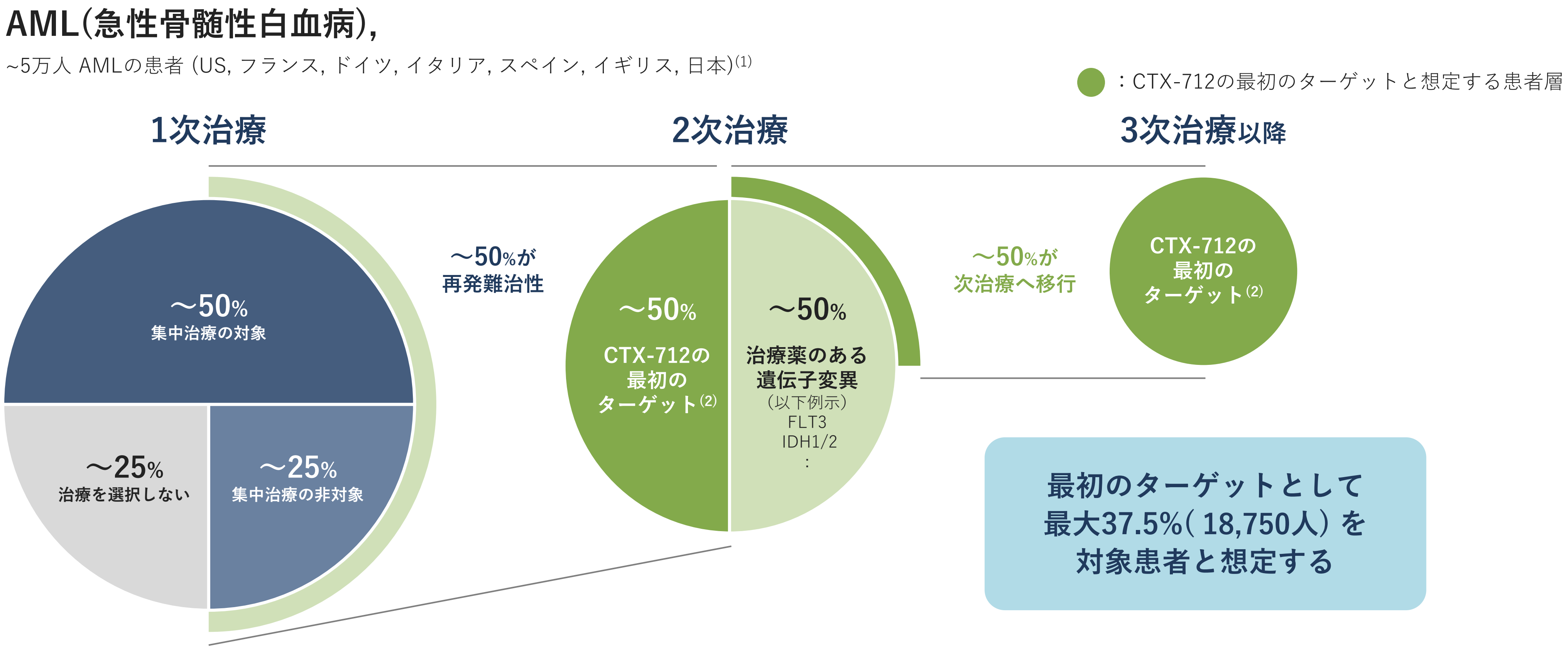
●直近で承認された8つの承認薬のうち6つがPhase2のステージにて承認を受けている

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
承認済み	1st line	SMO	DAURISMO (glasdesib)	Pfizer	2018	Phase 2	Priority review policy
承認済み	1st line	FLT3	RYDAPT (midastaurin)	Novartis	2017	Phase 3	Breakthrough Therapy
承認済み	2nd 以降	FLT3	XOSPATA (giltertinib)	Astellas	2018	Phase 3 (Top line)	Orphan Drug Fast track
承認済み	2nd 以降	FLT3	VANFLYTA (quizartinib)	Daiichi Sankyo	2019 (Japan Only)	Phase 3	Orphan Drug Fast track
承認済み	2nd 以降	IDH1	TIBOSOVO (ivosidenib)	Start up 企業 **Agios Pharma** (Acquired by Servier.)	2019	Phase 2	Fast track
承認済み	2nd 以降	IDH2	IDHIFA (enasidenib)	**Agios Pharm.** (Licensed out to BMS)	2017	Phase 2	Orphan Drug Priority review policy
承認済み	2nd 以降	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



(1) Global Data AML epideomiology 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		仮定上のサイクル数
約18,750人(2)	×	40,000円	×	270日	＝	約2,000億円
約18,750人(2)	×	91,000円	×	270日	＝	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) P29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

一次治療 →			2次治療[2]	3次治療以降[2]
一次治療	プラチナ製剤感受性	完全切除が可能と判断される腫瘍に対する2次的外科手術 プラチナ製剤を含む多剤化学療法 ベバシズマブ併用／維持療法 オラパリブ維持療法	20,000人	17,200人
	プラチナ製剤抵抗性	ベバシズマブ併用療法 前回治療に耐性のない化学療法 緩和的放射線療法 ベストサポーティブケア	9,600人	**19,300人**

(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

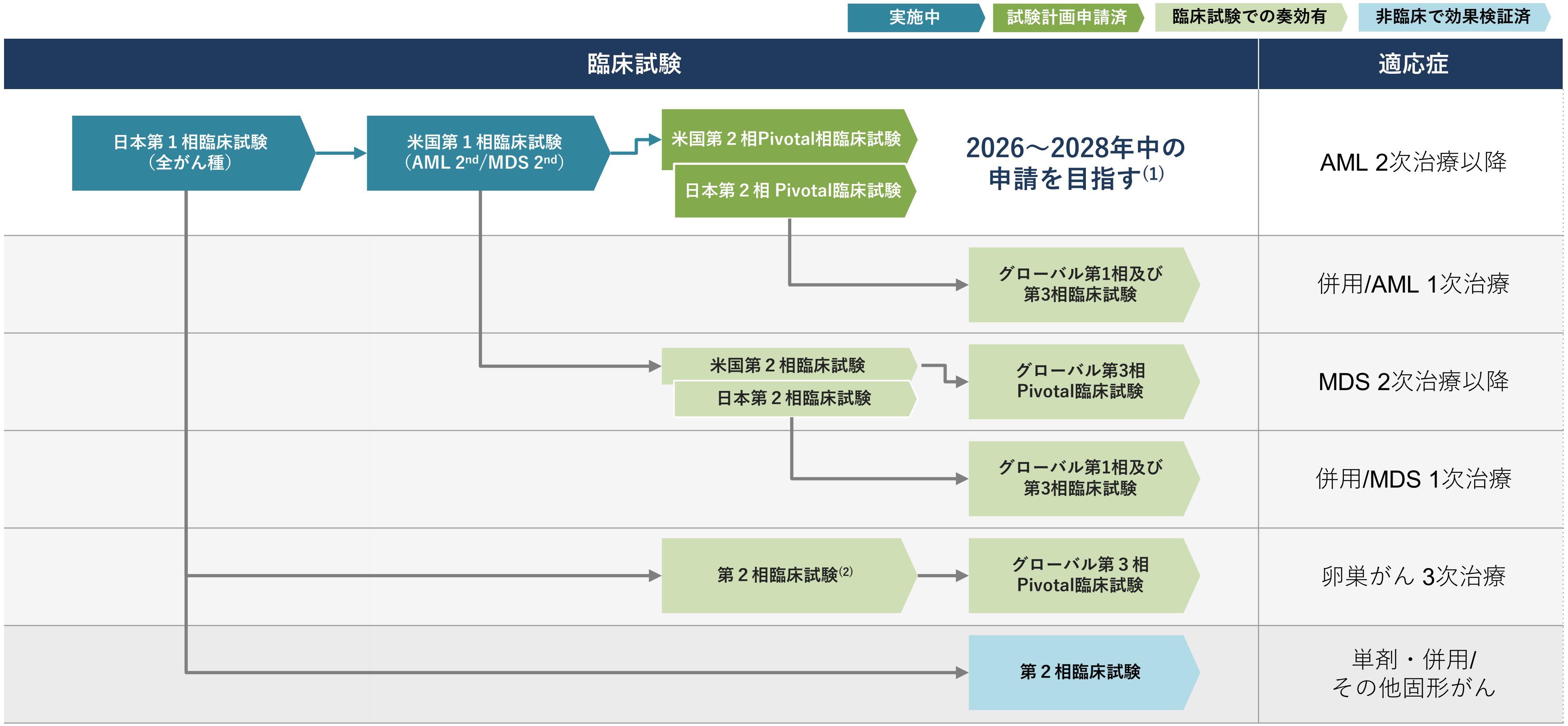
卵巣がんプラチナ製剤抵抗性 3次治療以降における潜在的市場規模の推定[1]

CTX-712治療対象のプラチナ抵抗性卵巣がんの患者数		仮定上の薬価/日[3]		仮定上の治療期間		仮定上のサイクル数
約19,300人[2]	×	40,000円	×	135日	＝	約1,000億円
約19,300人[2]	×	91,000円	×	135日	＝	約2,000億円

(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) P31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

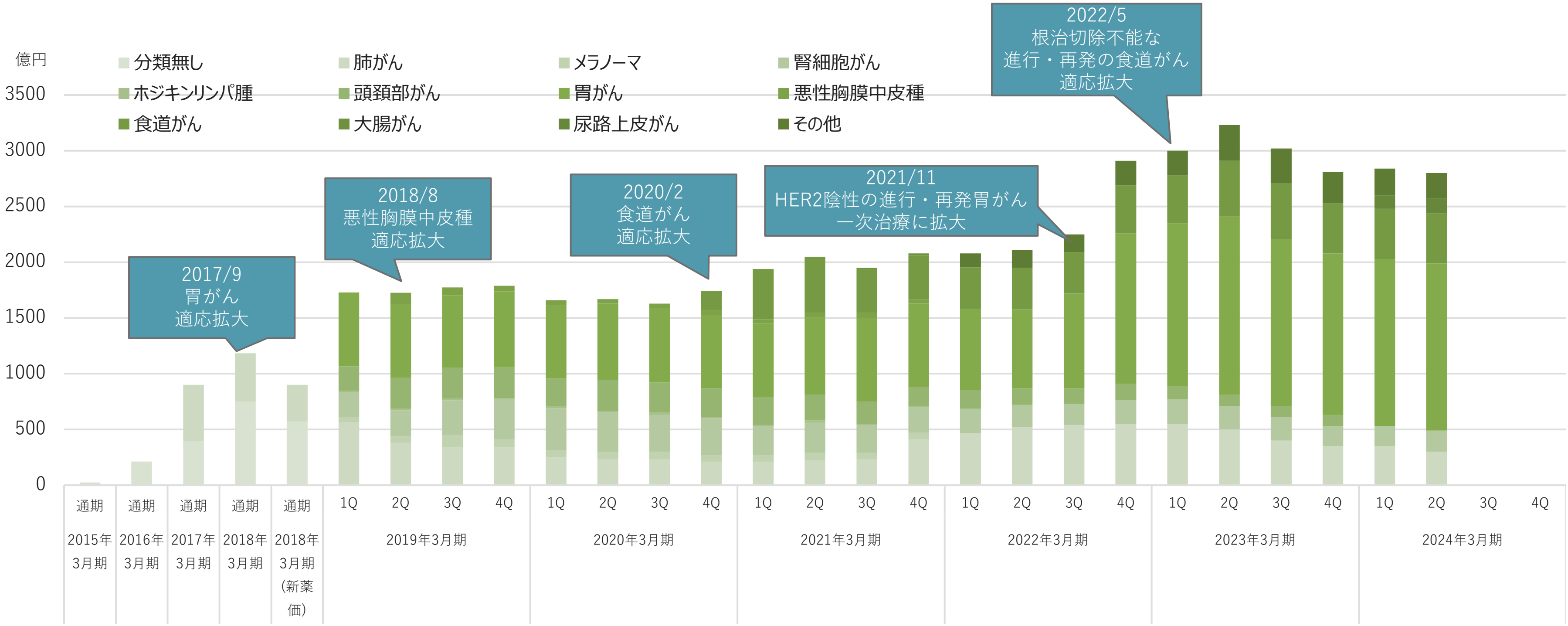


(1)上記の情報には将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見通しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。
(2)当該部分は日本でのPivotal臨床試験になりうる可能性もあると当社では想定している

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



小野薬品工業決算説明資料より当社作成

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

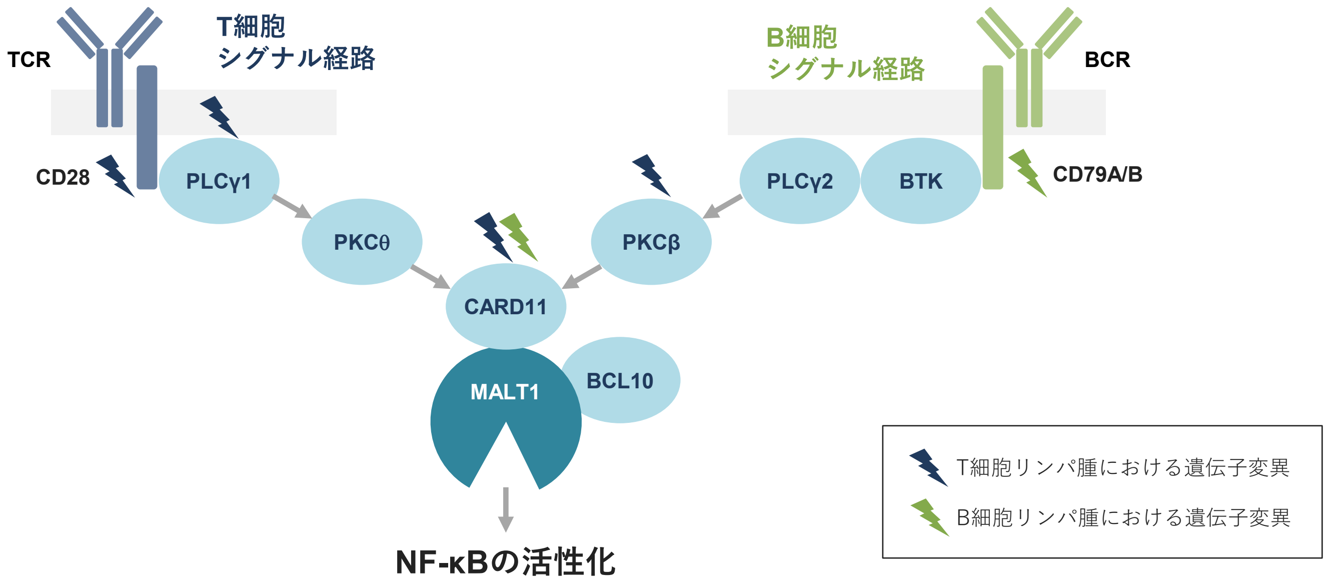
- Redona Therapeutics 社(元Twentyeight-Seven社) はマサチューセッツ州ウォータータウンに拠点を持つ前臨床ステージのバイオ企業で、MPM Capital、Longwood Fund、Novartis Venture fund、, J&J Innvation, Vertex Ventures、Astellas Venture Managementからの出資を受けています。[(4)]
- Redona社の会社HP (https://redonatx.com/pipeline/)の情報によると、 彼らのリードプログラムはCLK阻害薬であり、現在、臨床候補化合物の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

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

作用機序

- MALT1は転写因子NFｋB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、PLCγ1，PKCβ、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-ｋB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

競争環境

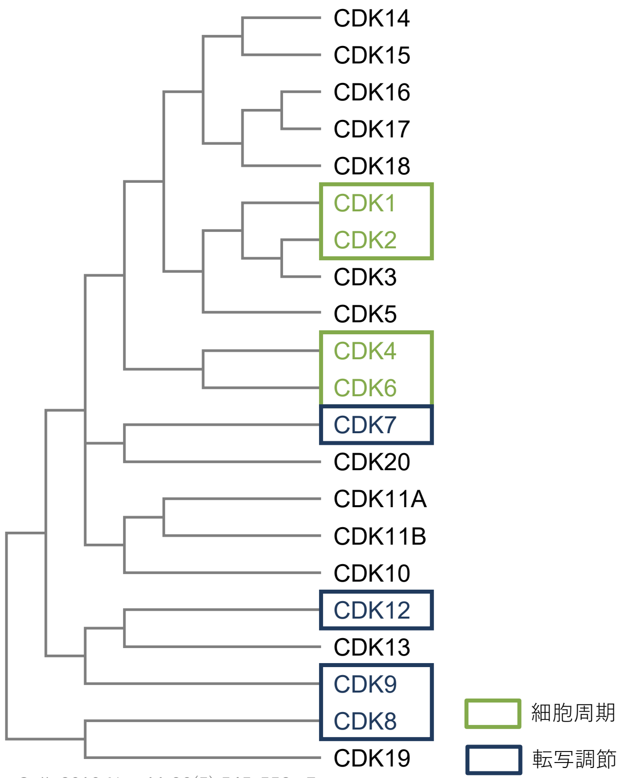
MALT1阻害薬における競合他社（当社の見解）2024年8月31日時点

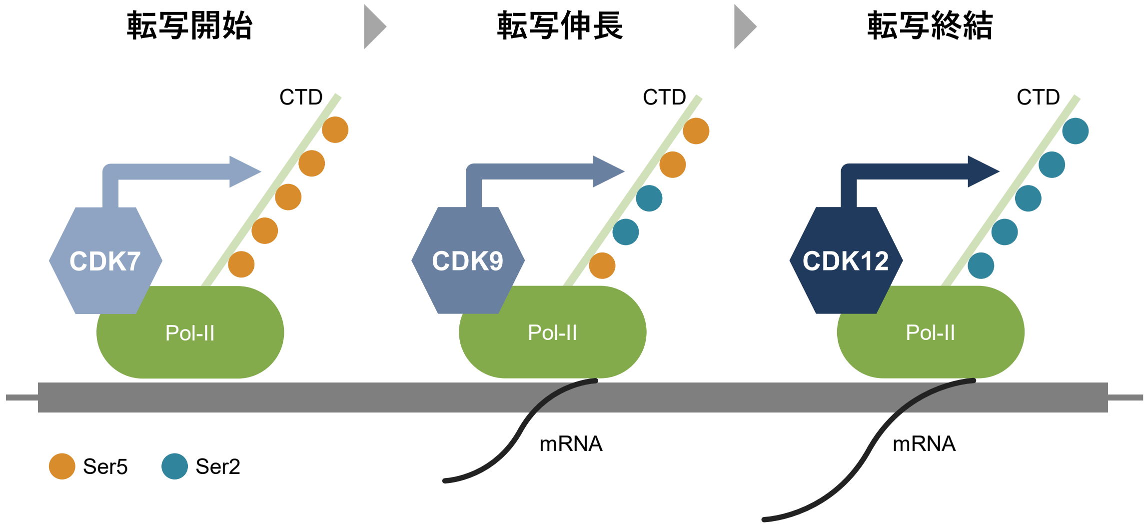
パイプライン	治験実施機関	ステージ（開始時期）	対象となる疾患	その他	URL (ClinicalTrials.gov) *SGR-1505以外
Safimaltib (JNJ-67856633)	Janssen Research & Development, LLC	第1相臨床試験（2019/04/03~）	非ホジキンリンパ腫および慢性リンパ性白血病	単剤	A Study of JNJ-67856633 in Participants With Non-Hodgkin's Lymphoma (NHL) and Chronic Lymphocytic Leukemia (CLL) - Full 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

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。そもそも、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8月31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
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
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	• 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ン	• 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ン	• 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	• 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

受領済み

8億円	＋	25億円	＋	最大 496億円	＋	一桁後半から二桁前半の売上高に応じたロイヤリティ
開発一時金		第Ⅰ相臨床試験開始に伴うマイルストン		第Ⅰ相以降の開発マイルストンおよび商用マイルストン		

Chordia Therapeutics ⟷ 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れ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

Chordia Therapeutics

- 研究開発
- マネジメント
- マーケティング

- 総括製造販売責任者
- 品質管理責任者
- 安全管理責任者

製造委託 ↕ 品質管理の一部

専属流通（CTX-712） ↕ 体制構築のサポート

↕ Co Sales & development agreement

シオノギファーマ
(医薬品受託製造会社)
- 品質保証
- 製造

メディパルホールディングス
(医薬品卸業者)
- 販売体制構築のサポート（マーケティングを含む）
- 流通
- PV
- 販売

Japan

Global Partners
(Licensee)
- マネジメント
- PV
- 臨床開発
- 品質保証
- 製造
- 流通
- 販売
- マーケティング

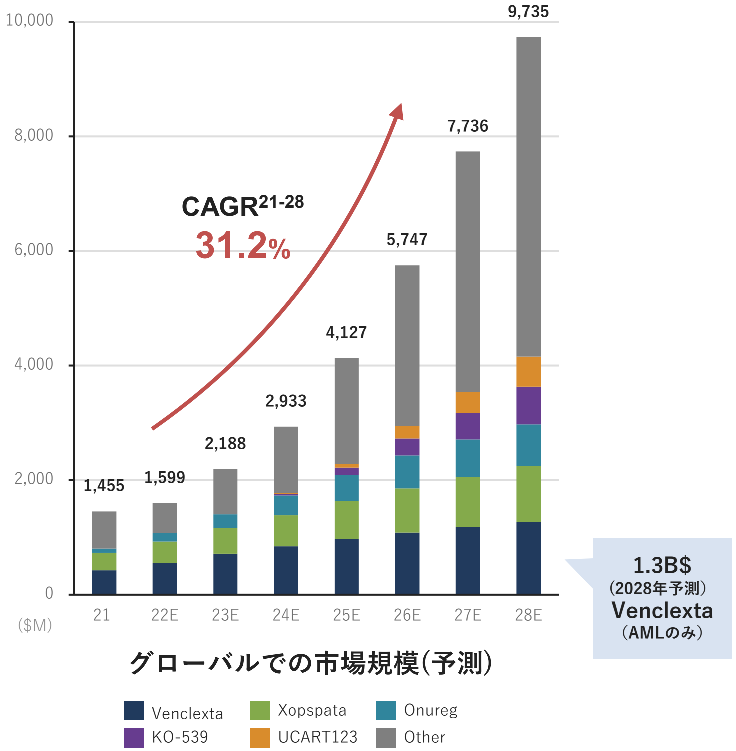
Global (Ex-Japan)

戦略的パートナー
- 既に戦略的パートナーと契約済
- 今後構築予定の機能
- 内部で機能を保有済み

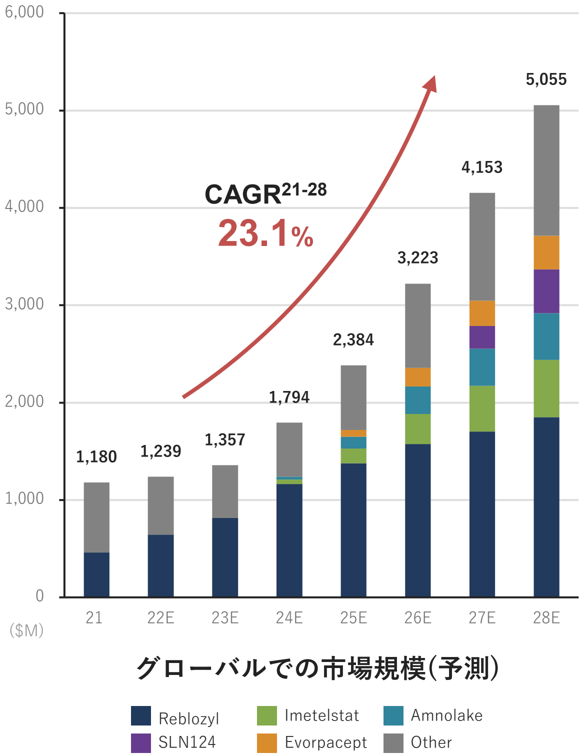
CTX-712の対象となるがん種については市場は拡大予想[1]

● 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

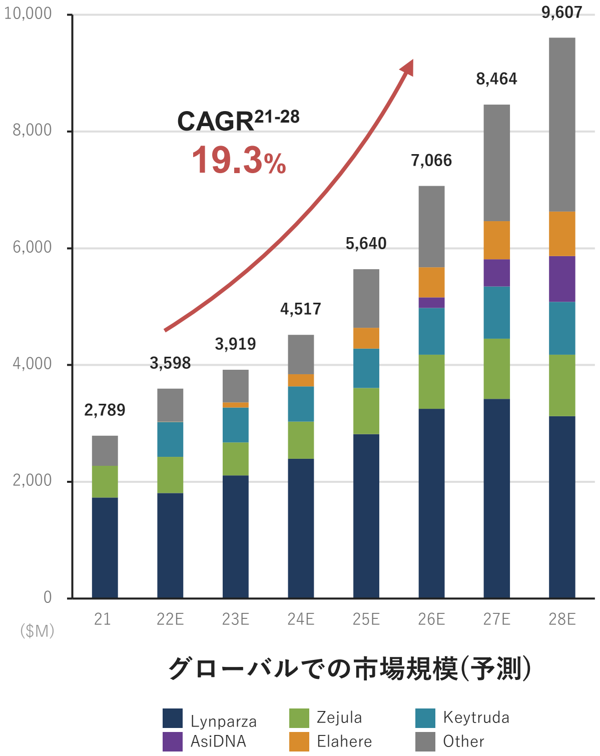
急性骨髄性白血病（AML）



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が潜在的に対象としう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)

財務状況

●2022年度に小野薬品工業からのマイルストン収入25億円を受領し、2024年6月に上場し、14億円の出資を得たことで2024年8月期末期時点で43億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：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

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**

マイルストン達成状況と今後の想定マイルストン

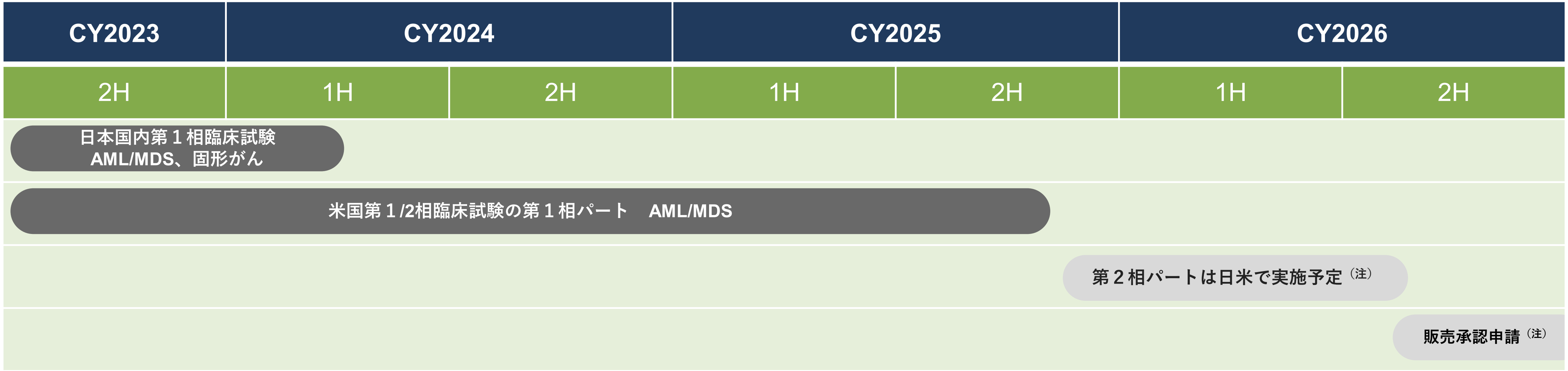
2024年8月時点での達成状況

- ✓ 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



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、残りで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CT-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の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

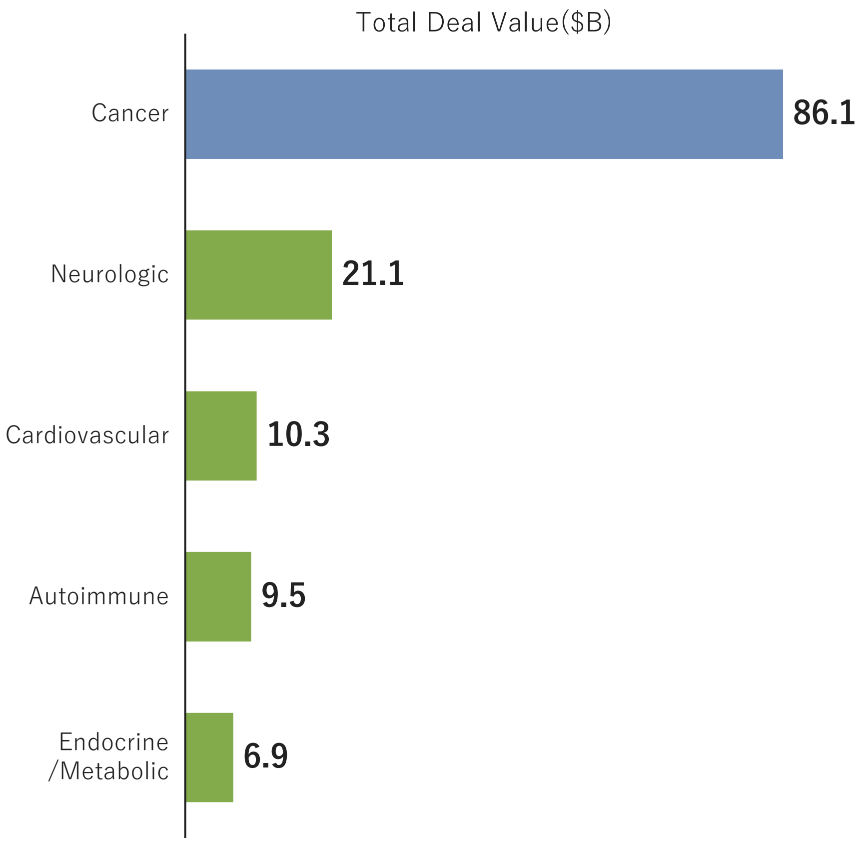
目次

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

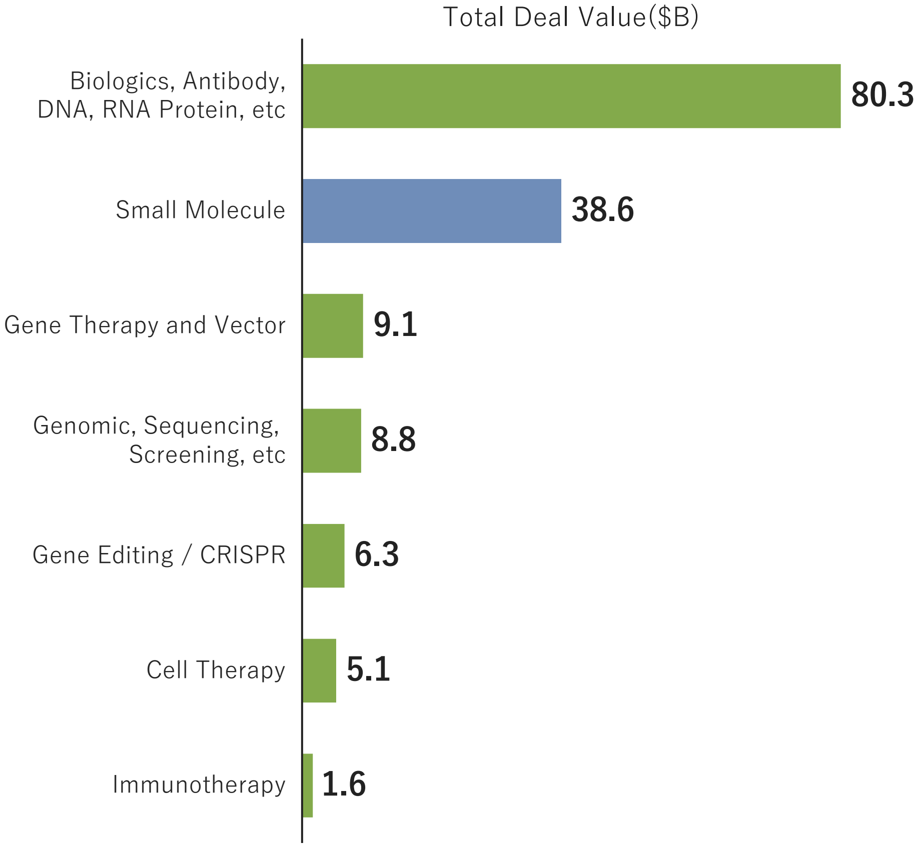
Appendix.

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

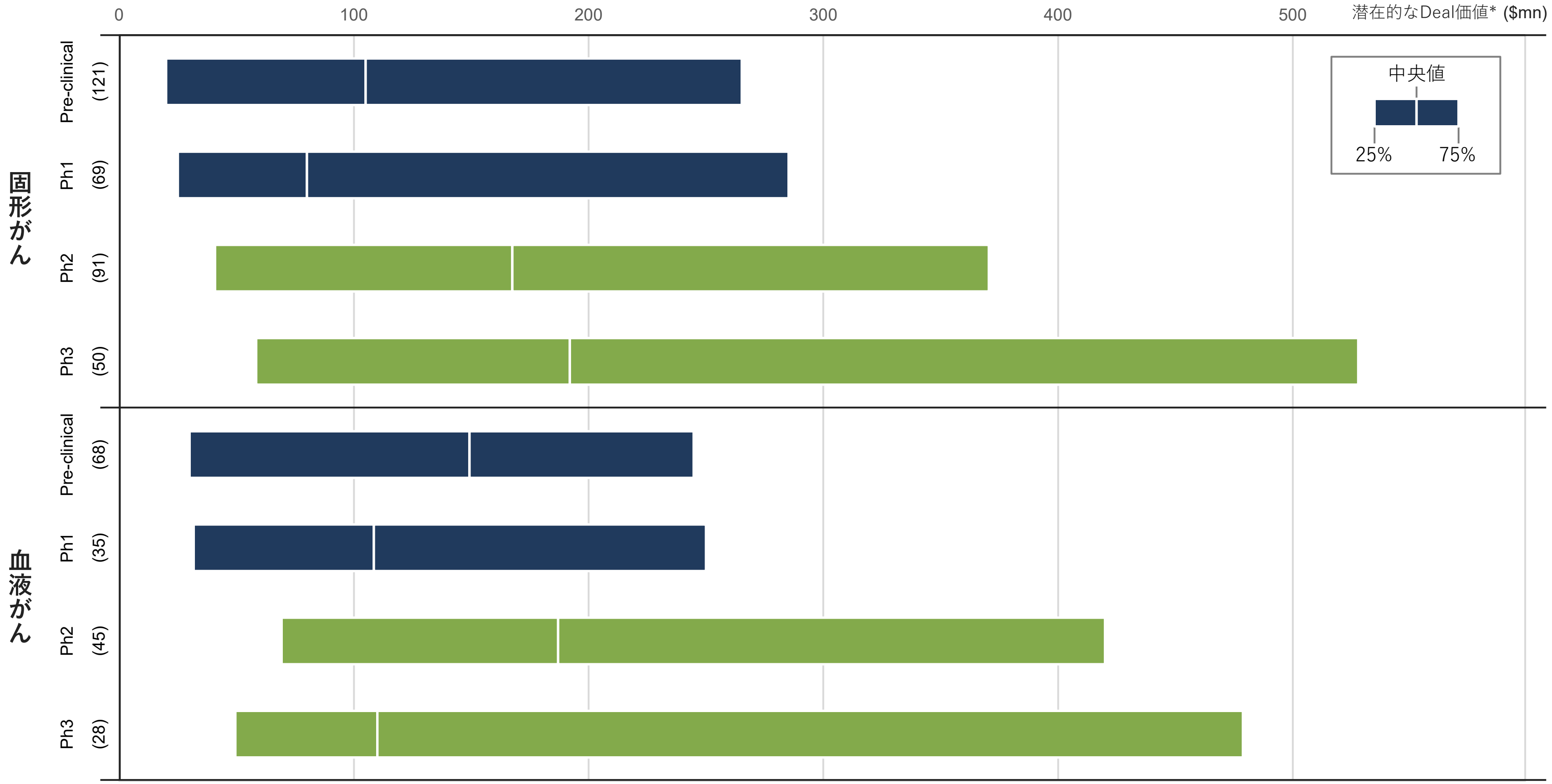


モダリティ別での公表された2023年のライセンス総額



引用: JP Morgan 2023 Annual Biopharma Licensing and Venture report

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)	開発マイルストン ($m)	販売マイルストン ($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-2 α	○	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t「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)

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。

Chordia Therapeutics