

事業計画及び成長可能性に関する事項の開示

2025年11月時点

Chordia Therapeutics株式会社

目次

1. 事業戦略と価値創造
 2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
 3. パイプラインの特徴と進捗
 4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
 5. 財務状況とリスク要因
- 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2026年11月に開示する予定です。

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.

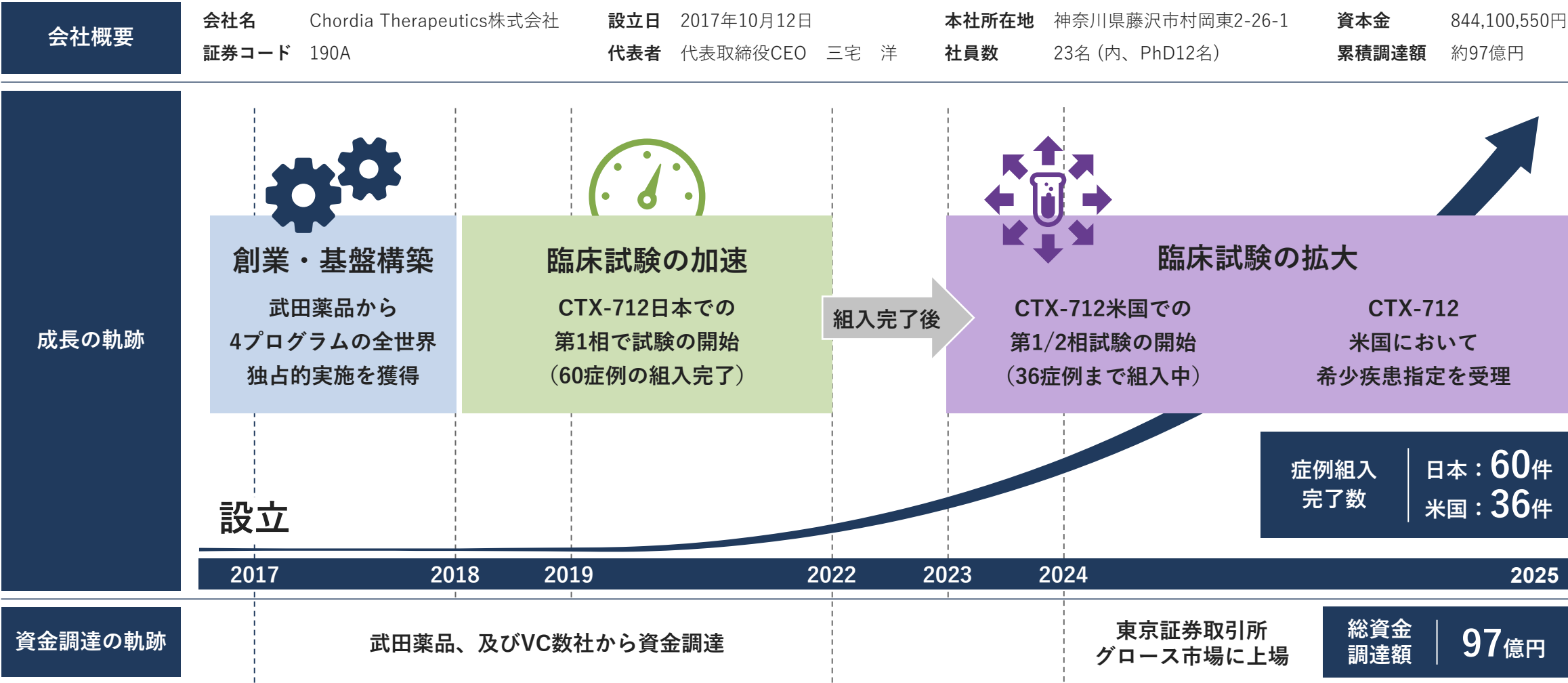
First in Class 抗がん薬を創る

———— 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

会社概要および沿革



多様な専門性で事業成長を加速する経営体制

- CEOと専門性豊かな社外取締役が、迅速な意思決定で事業成長をけん引

業務執行取締役



代表取締役/CEO
三宅 洋

- 2017年10月にChordia Therapeuticsを共同創業（CEOに就任）
- 武田薬品工業で20年以上創薬研究に従事し、がん創薬ユニットの日本サイトヘッドを歴任、6つのプログラムにおいて臨床試験開始に貢献
- 大阪大学薬学部卒業、東京大学大学院 薬学系研究科博士課程修了、薬学博士

社外取締役



戦略助言

社外取締役
中村 学
(新生キャピタルパートナーズ代表取締役)

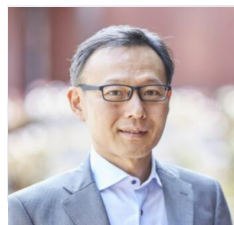
社外取締役



戦略助言

社外取締役
土屋 裕
(元 エーザイ取締役、マルホ社外取締役)

社外取締役



戦略助言

社外取締役
平崎 誠司
(元 アンジェス取締役、元 オリシロジェノミクス代表取締役)

監査等委員会（社外取締役）



会計

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)



研究開発

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)



法律

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)

収益化戦略と「選択と集中」

～戦略（開発期間の短縮）×「選択と集中」（低分子・ファーストインクラス・プレジジョン）～

- 探索から臨床研究へ重点を置くことで、開発期間を大幅に短縮させ価値創出を早期化
- 低分子医薬品（製造リスク低）・ファーストインクラス（世界初）・プレジジョン（成功率の向上）にて、リスク低減と高リターンを実現
- 大手製薬会社と同水準の開発力を有するチーム（半数がPhD）による推進



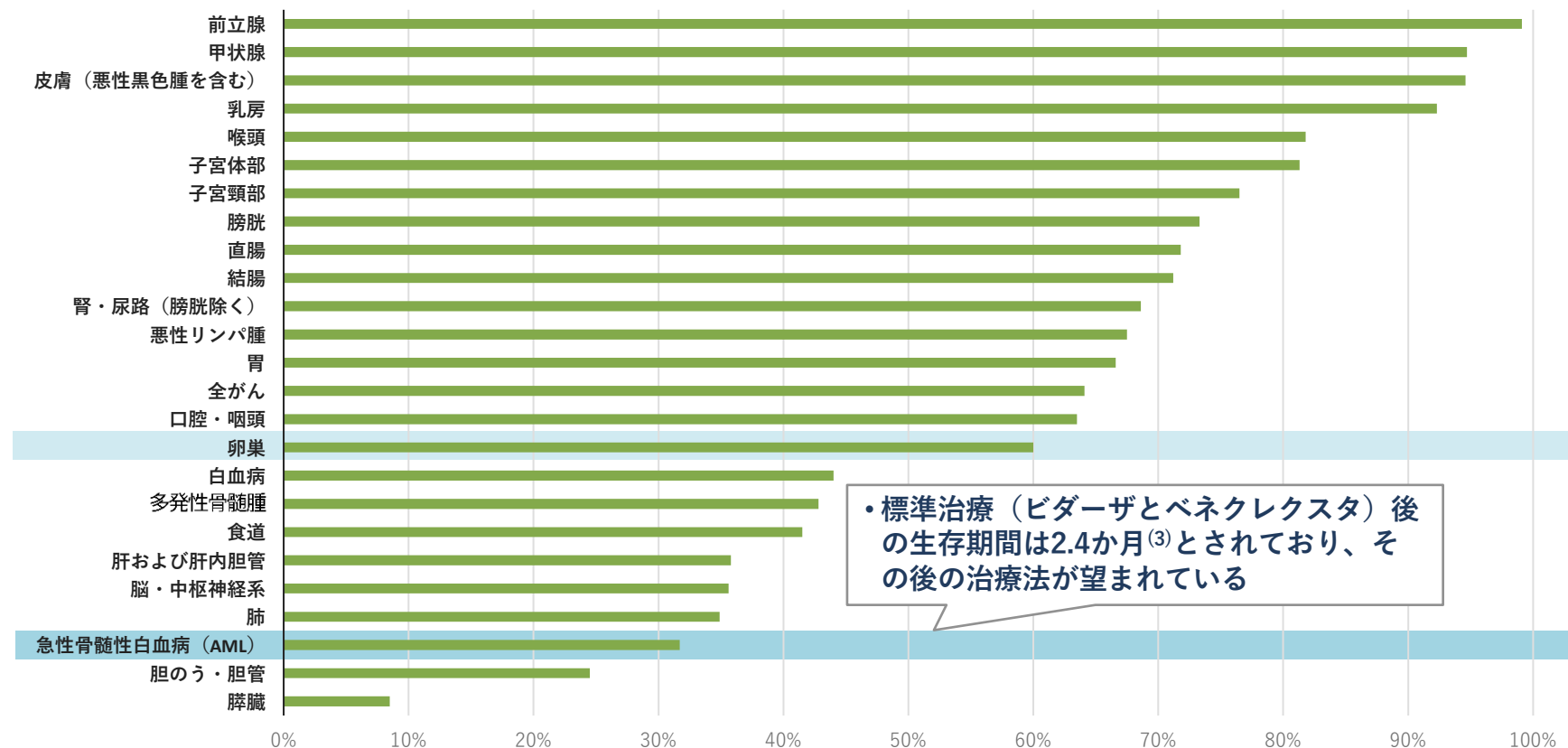


リードパイプラインrogocekibの対象疾患

～5年生存率が低い急性骨髄性白血病・卵巣がんに新たな治療選択肢～

- 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.）



事業収益の実績及びrogocekib（AML:2次治療）の目標

●開発の進捗・規制当局による承認・競合状況・経済環境等の前提によるが、多額のリターンが得られるライセンス契約を目指す

収入形態	内容	これまでの実績	rogocekib 他社実績を踏まえた 当社期待値（M\$）
ライセンスの 一時金	<ul style="list-style-type: none">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（8億円） （小野薬品工業／CTX-177）	当社期待値：100M\$ 以上 （他社実績：2～330）
ライセンスの 開発マイルストン	<ul style="list-style-type: none">パイプラインの開発進捗に応じて設定した目標を達成する毎に一時金として得られる収入	受領実績あり（25億円） （小野薬品工業／CTX-177）	当社期待値 マイルストーン総額 600M\$ 以上 （他社実績：236～1,674）
ライセンスの 販売マイルストン	<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	受領実績なし	
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	受領実績なし	当社期待値：15%～25% （他社実績：10%～30%台）

出典：当社作成（Cortellis® 2025年11月18日時点 ©Clarivate） 抽出条件はAppendix p.52（AML低分子抗がん薬 直近のライセンスディール）を参照

各ディールには個別性があり、契約条件や背景要因によって大きく異なるため、正確な把握は困難です。本資料に記載する期待値は、当社パイプラインの特性を踏まえた参考値であり、将来の契約条件や成果を保証するものではありません。さらに実際の結果は、規制当局の判断、開発進捗、競合状況、経済環境、提携先の戦略変更など、様々な要因により大きく変動する可能性があります。そのため、本資料の内容は将来の成果や契約条件を保証するものではない点にご留意ください。



日本のアカデミアの力を活かして、創薬の種を創出する

- 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
- 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
- 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

京都大学
国立がん研究センター

CTX-177

京都大学
宮崎大学
国立がん研究センター東京大学
京都大学
三重大学

GCN2阻害薬

名古屋市立大学

プラットフォーム

京都大学

共同研究を実施



主な受賞歴

2024 日本スタートアップ大賞
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
スタートアップ賞大学発ベンチャー表彰2022
文部科学大臣賞



グローバル水準の研究開発力で競争優位性を確立

- 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⁽²⁾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



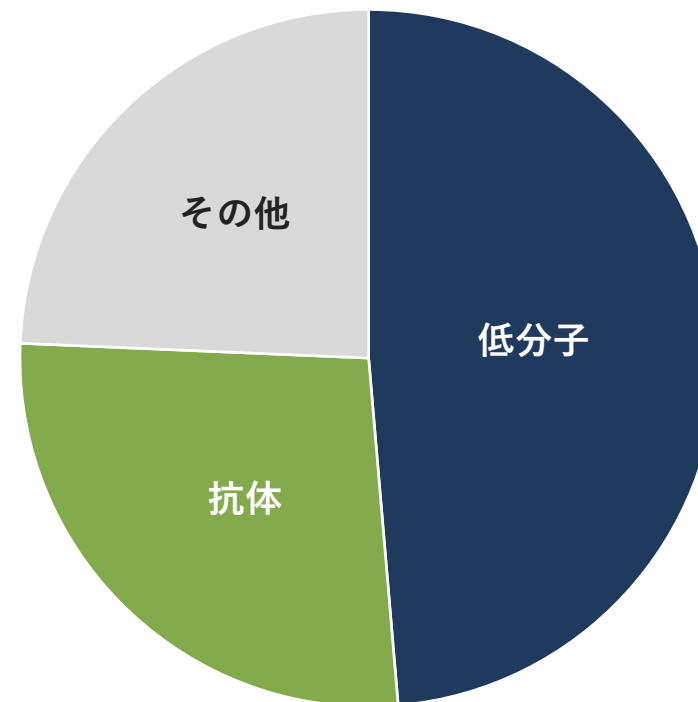
当社の「選択と集中」①～低分子化合物創薬

- 低分子創薬の承認薬に占める割合は高く、創薬の手法（製造リスク低）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「選択と集中」②～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

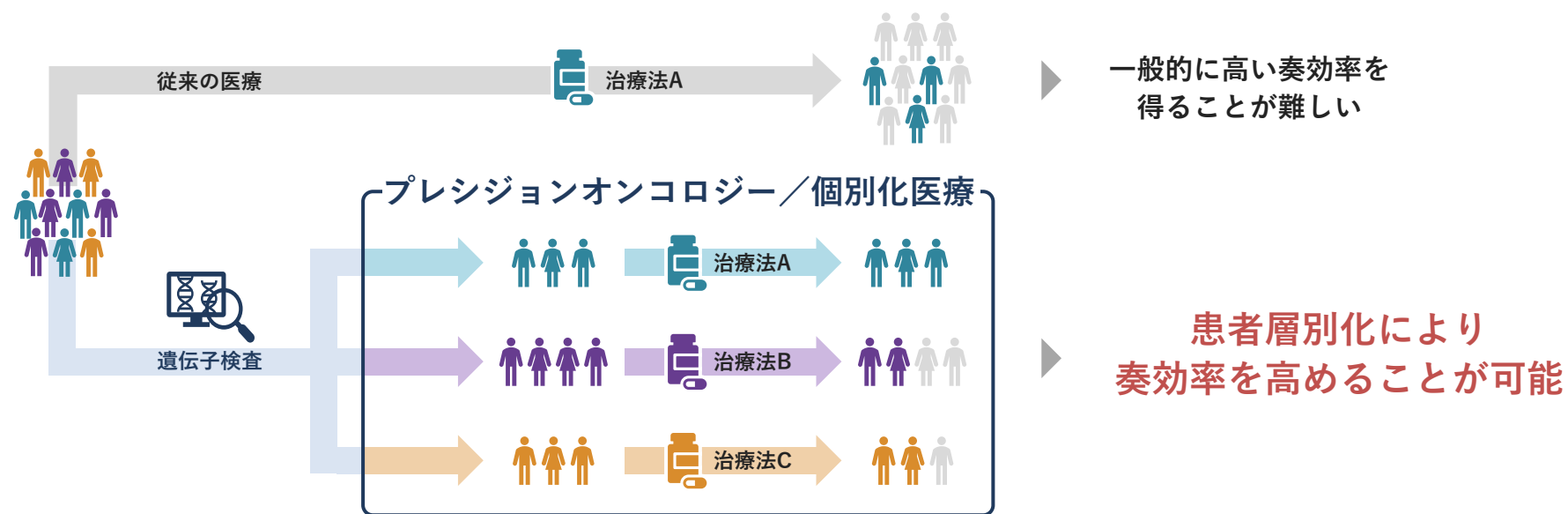
新規性が高く難易度が
高いため、高い薬価が
期待できる

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「選択と集中」③～プレジジョンオンコロジー

●RNA制御ストレス（がんの特性）× 個別化医療（前臨床/臨床試験の結果）で、がん治療の精度・有効性を革新し、最適治療を実現する



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

rogocekib(CLK)

国立がん研究センターとの
共同研究成果を基に特許出願

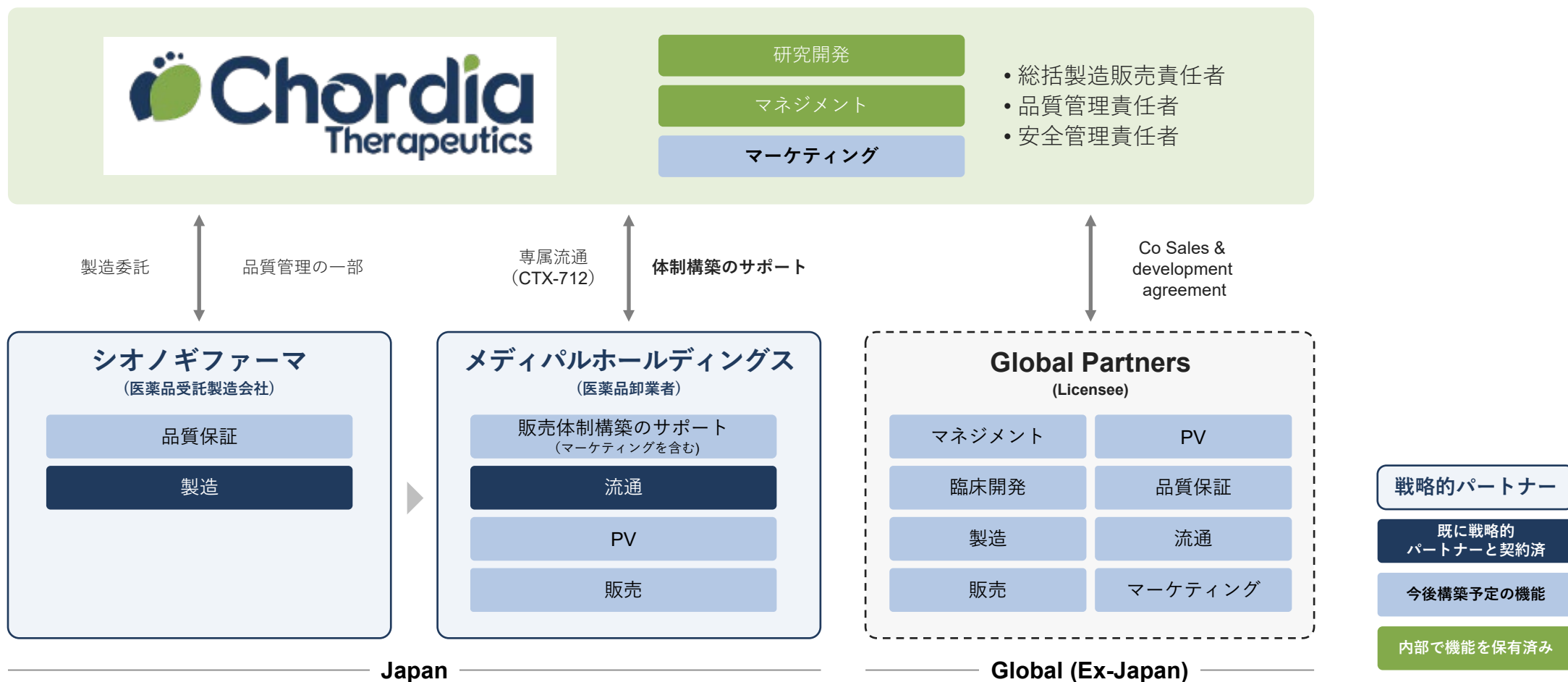
(CDK12)

京都大学、東京大学との
3者での共同研究を実施中



将来の製品販売収入も視野にいたした戦略的提携先との協力体制

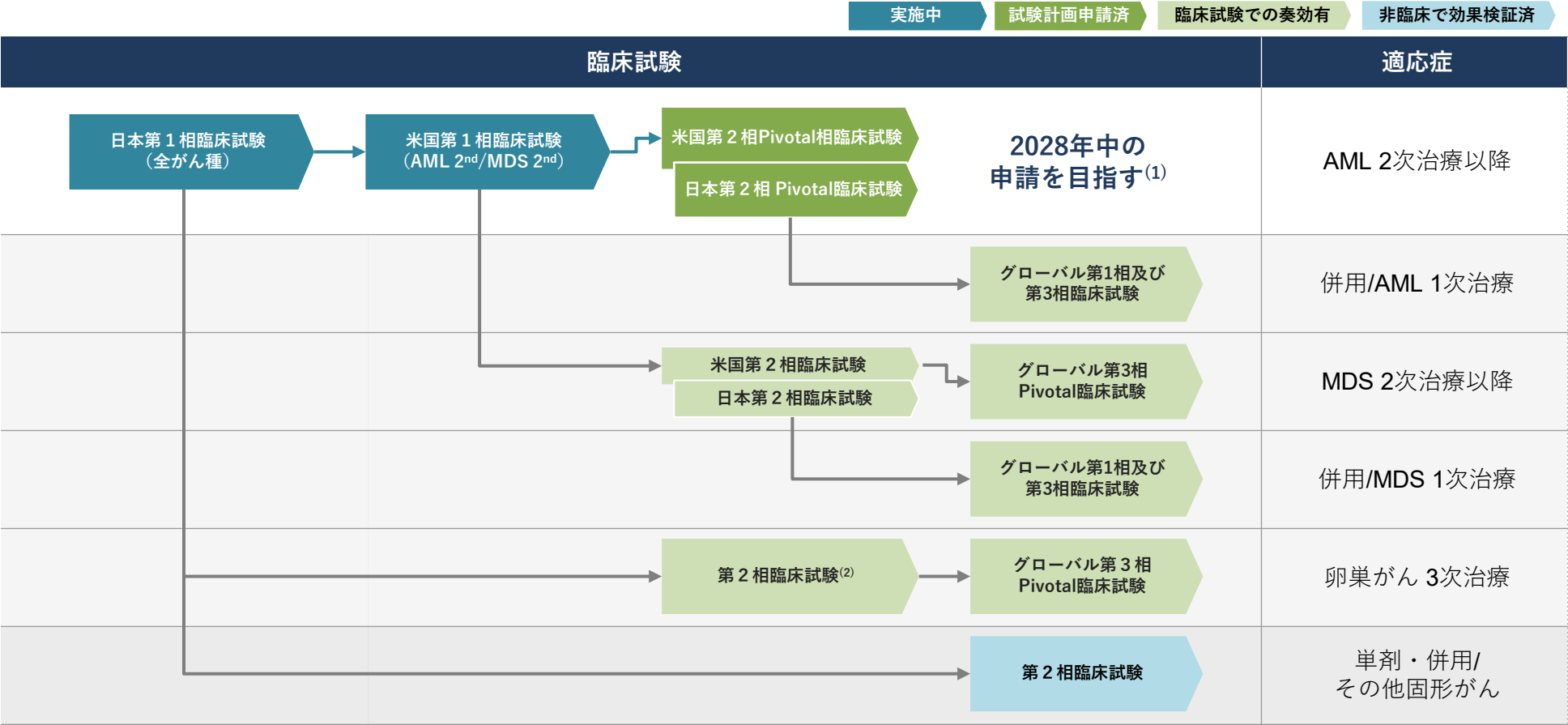
- 製造販売体制構築を当初より視野に入れ、戦略的なパートナーと提携することで、日本発の製薬会社となり、直接製品販売収入を得られる体制を構築することを考える





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できた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



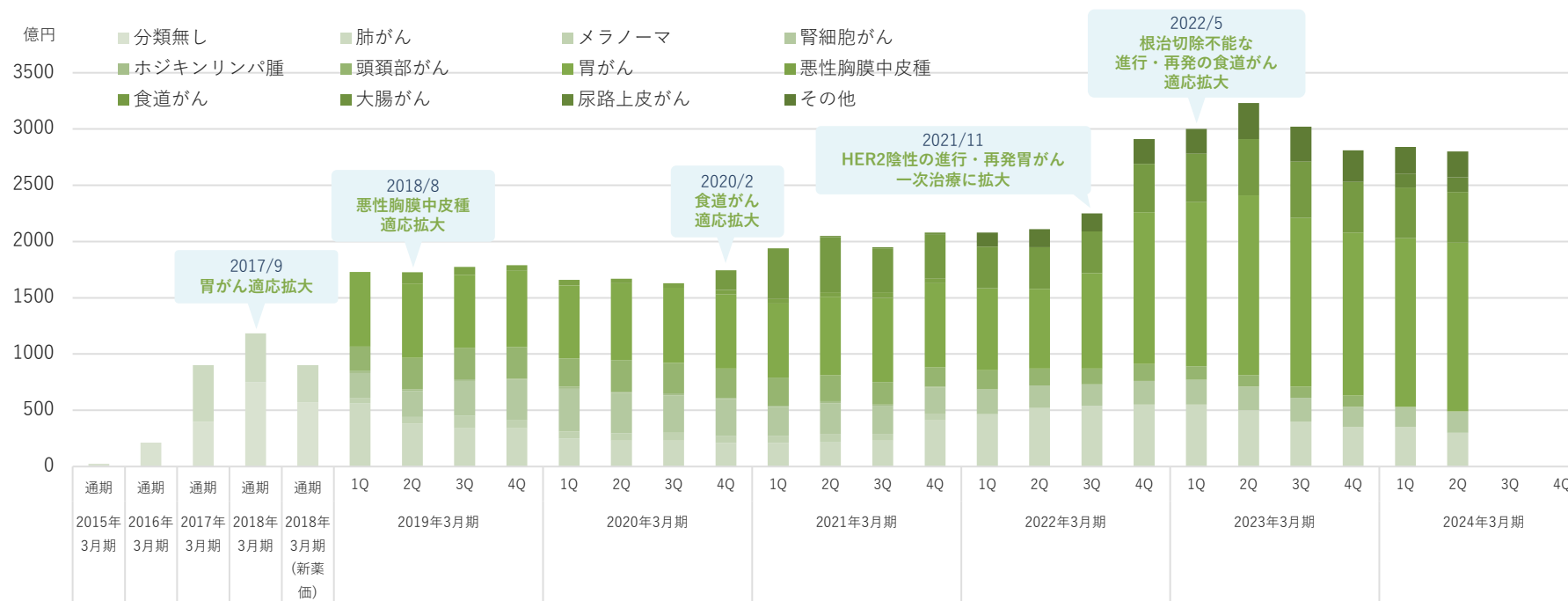
(1) 上記の情報は将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提ならびに現在入手可能な情報に依拠し様々なリスクが顕在化しないと仮定して形成された当社の経営陣の見解および判断に基づいている。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は表明または保証を行うことはできず、また、行わない。実際の結果は上記の将来見通しに関する記載から（潜在的には非常に大きく）異なることがある。

(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
- rogocekib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





長期的な成長モデル

- rogocekib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(GCN2等)



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

次の成長機会

戦略的な提携



海外で提携/日本で製造および販売 Commercial

現状

臨床試験実施中

rogocekib
再発難治性のAML

CTX-177 (再導出)
再発難治性のリンパ腫

当面の研究開発活動は、rogocekibの米国1/2相試験に注力する。また、他の自社パイプラインについては、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。早期導出も視野に入れ交渉を行う計画である。

目次

1. 事業戦略と価値創造
 2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
 3. パイプラインの特徴と進捗
 4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
 5. 財務状況とリスク要因
- 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⁾

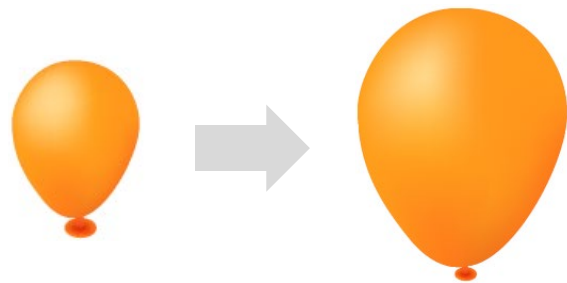


出所：公表情報をもとに当社作成(Weinberg 2000, Elledge 2009, Meyerson 2012 and Evaluate Pharma, Eisai's disclosure material)
⁽¹⁾ がんの特徴のいずれかを標的とする抗がん剤の開発に成功した場合に対処可能な最大世界市場規模の推定値であり、当社の現在または将来のパイプラインの潜在的市場規模を意味するものではない。また各抗がん薬についての数値は、売上が最大額となった年における売上金額

当社が手掛ける抗がん薬のコンセプト

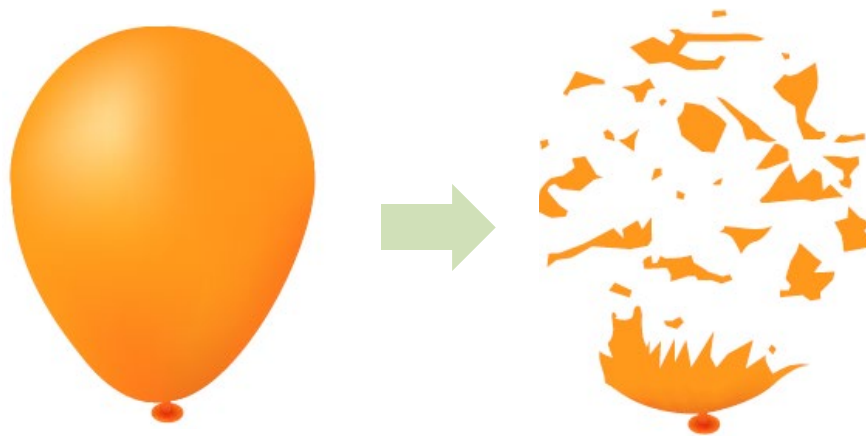
- がん細胞に比べてストレスがない正常細胞は、追加のストレスにはある程度耐えうる（左図）
- 既に大きなストレスがかかっているがん細胞に追加でストレスを加えると、がん細胞は耐えることができずに死滅するものと期待される（右図）(1)

正常細胞



ストレス追加時

がん細胞



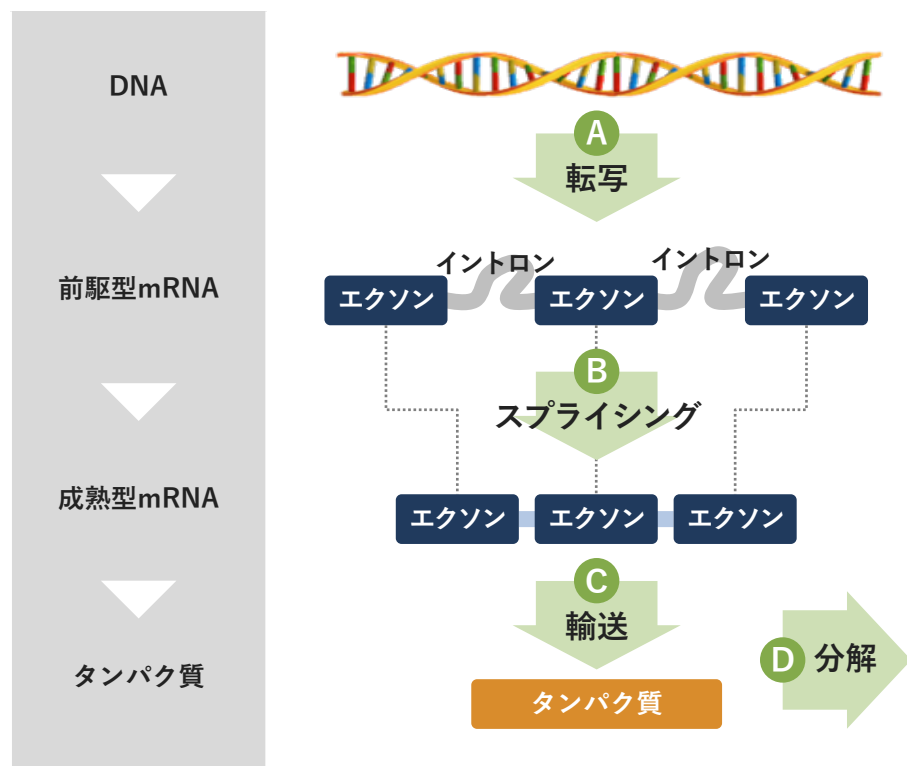
ストレス追加時

*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

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: (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: rogocekib 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

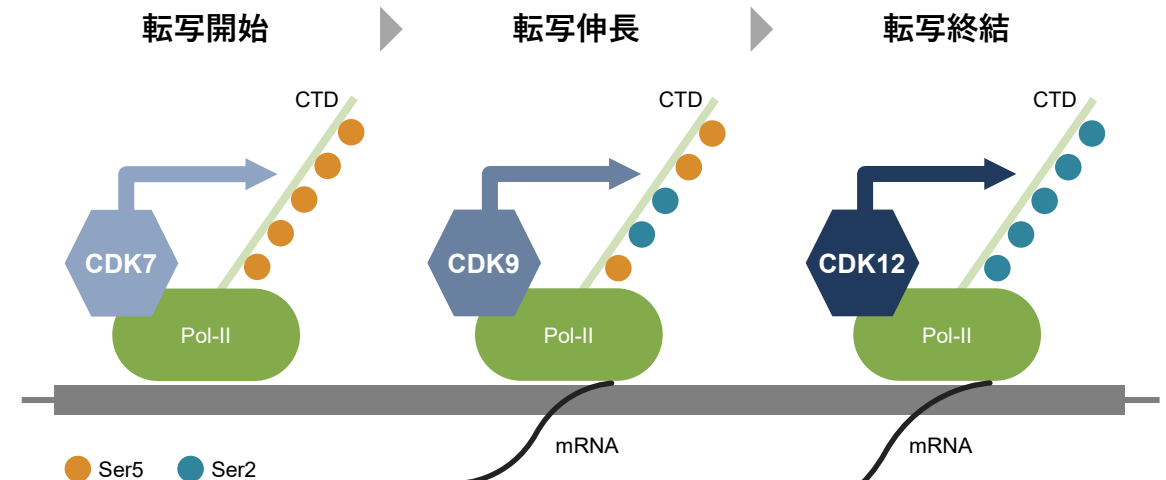
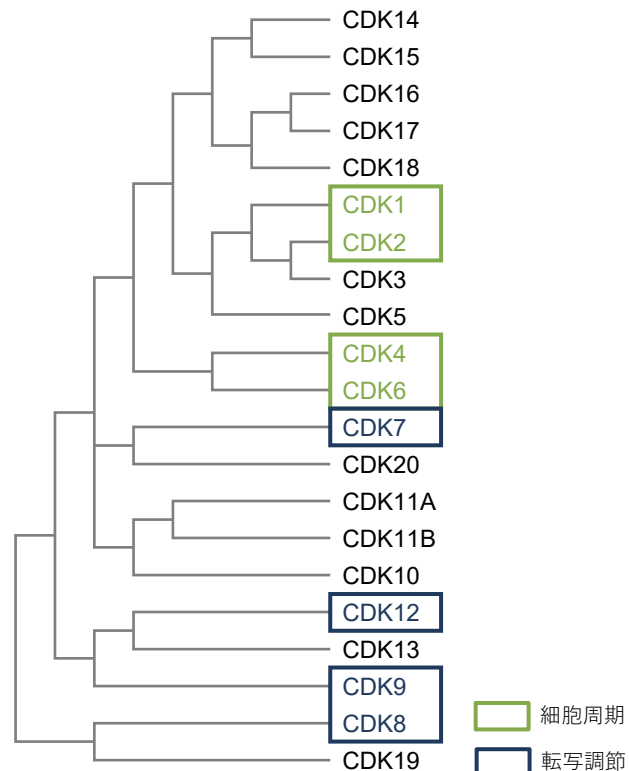
DNA、RNA及びタンパク質ストレスを標的とした上市済みの抗がん薬の現状と当社パイプライン

	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) <div>前立腺がん、 卵巣がん、 乳がんなど</div>	-	-	-	-	XPOVIO (XPO1) <div>多発性骨髄腫、 びまん性B細胞リンパ腫</div>	VELCADE (Proteasome) <div>多発性骨髄腫、 マントル細胞リンパ腫</div>
Chordiaの パイプライン	-	 CDK12	 rogocekib CLK (CTX-712)	 New	 GCN2	-	-

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）
- 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)

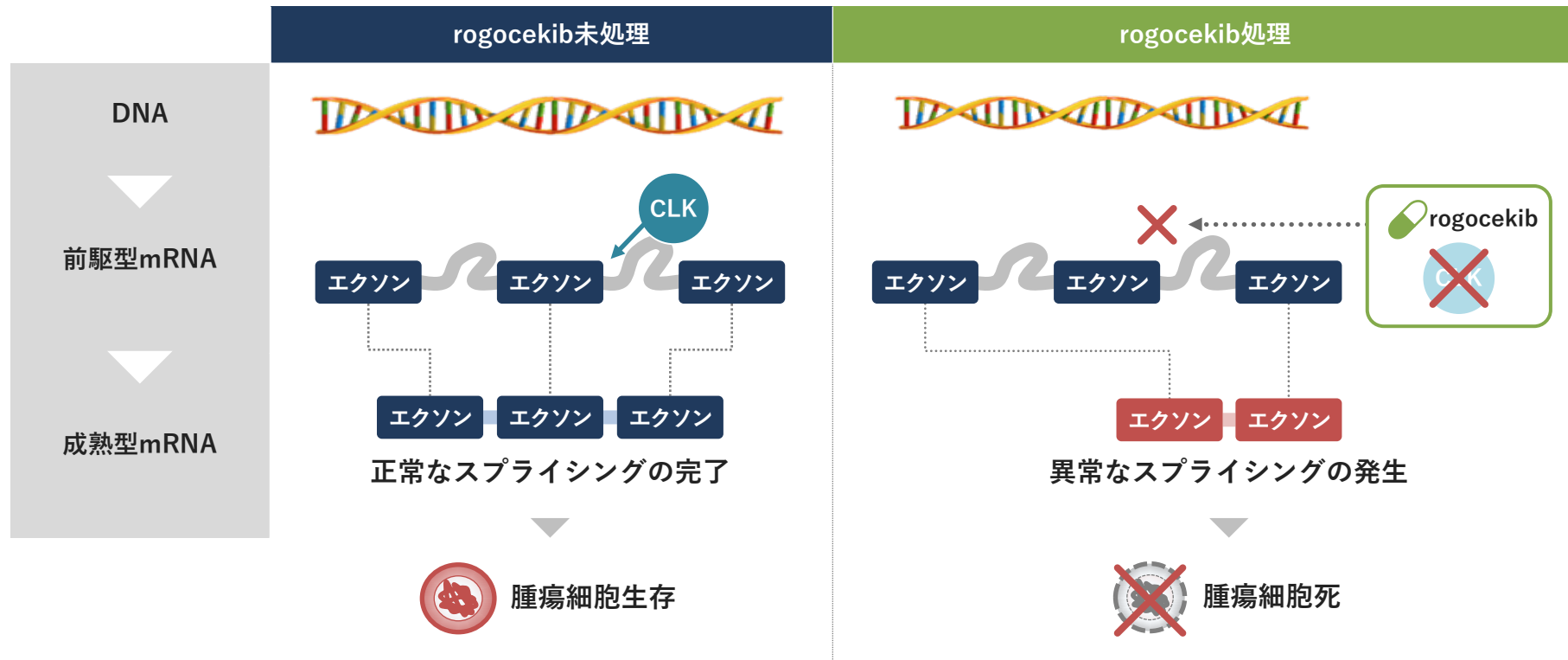
CDK12阻害薬における競合他社（当社の見解） 2025年11月1日時点

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	臨床試験情報 (ClinicalTrials.gov)
CT7439	Carrick Therapeutics	第1相臨床試験 (2024/09/23~)	固形がん	CDK12/CDK13/Cyc lin-K degrader	Study Details NCT06600789 A Modular Phase 1/2 Study With CT7439 in Participants With Solid Malignancies ClinicalTrials.gov
ISM-6466A	InSilico Medicine	前臨床	—		NA
AU-15506, AU-16770	Aurigene Oncology	前臨床	—		NA

CTX-712(CLK阻害薬) rogocekib

～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
- rogocekib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



競争環境_CTX-712(CLK阻害薬) rogocekib

CLK阻害薬を開発している競合他社（当社の見解） 2025年11月1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	臨床試験情報 (ClinicalTrials.gov)
Cirtuvivint (SM08502)	Biosplice	第1相臨床試験 (2025/08/15~)	再発又は難治性のAML及び MDS	ASTX727との併用 NCIスポンサー	Study Details NCT06484062 Testing the Anti-cancer Drug, Cirtuvivint, and Its Combination With ASTX727 to Improve Outcomes in Patients With Acute Myeloid Leukemia and Myelodysplastic Syndromes ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/12から開始予定)	BRCA/HRD陽性でプラチ ナ製剤抵抗性卵巣がん	Olaparibとの併用 University of Coloradoスポンサー	Study Details NCT06856499 Cirtuvivint/Olaparib in Breast Cancer Susceptibility Gene/Homologous Recombination Deficiency Platinum Resistant Ovarian Cancer ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/01/15~)	進行軟部組織肉腫	SELNETスポンサー	Study Details NCT07032285 Cirtuvivint in Selected Advanced Soft-Tissue Sarcomas ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/12から開始予定)	小細胞肺がん	イリノテカンとの併用 Washington University スポンサー	Study Details NCT07155200 Small Cell Lung Cancer Irinotecan and CDC2-like Kinase Inhibition Trial (SLICK Trial) ClinicalTrials.gov
BH30236	BlossomHills Therapeutics	第1/1b相臨床試験 (2024/06/19~)	再発又は難治性のAML及び MDS	単剤及びVenetoclaxとの併用	Study Details NCT06501196 A Study of BH-30236 in Relapsed/Refractory Acute Myelogenous Leukemia and Higher Risk Myelodysplastic Syndrome ClinicalTrials.gov
—	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⁾

BlossomHills Therapeutics社の概要

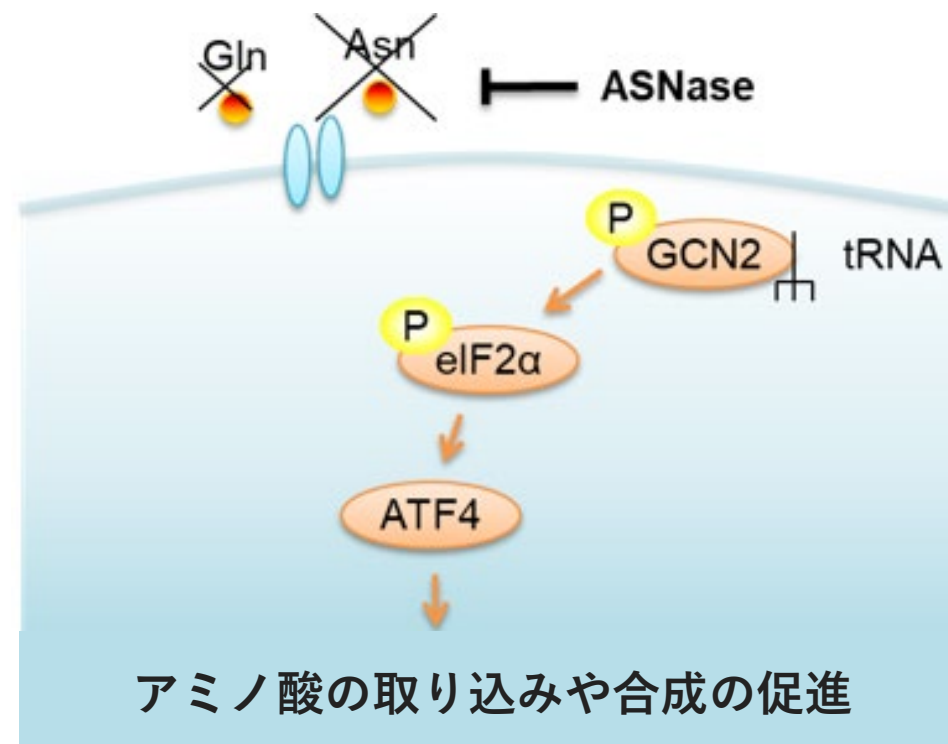
- BlossomHills Therapeutics社はカリフォルニア州サンディエゴに拠点を持つ前臨床ステージの低分子にフォーカスしたバイオテック企業で、Cormorant Asset Management, OrbiMed, Vivo Capital, Hercules BioVentures Partners LLC, COLT Ventures等から合計\$174Mの出資を受けています。

GCN2阻害薬

- 化合物の最適化研究を終え前臨床試験の実施前の状況
- 前臨床試験の開始に向けて戦略的なパートナーを探索中

GCN2阻害薬

- 経口投与可能な選択的なGCN2キナーゼ阻害薬
- GCN2は細胞内アミノ酸濃度をモニタリングしているタンパク質で細胞内アミノ酸濃度が低下した状態で活性化される
- GCN2の機能を阻害するとアミノ酸の細胞外からの取り込みや新規合成が進まなくなり、アミノ酸枯渇状態となり細胞死が誘導される
- GCN2阻害薬は動物モデルにおいて、アスパラギナーゼなどのアミノ酸濃度を低下させる既承認薬との併用で抗がん作用を発揮する



競争環境_GC N2阻害薬

GCN2阻害薬における競合他社（当社の見解） 2025年11月1日時点

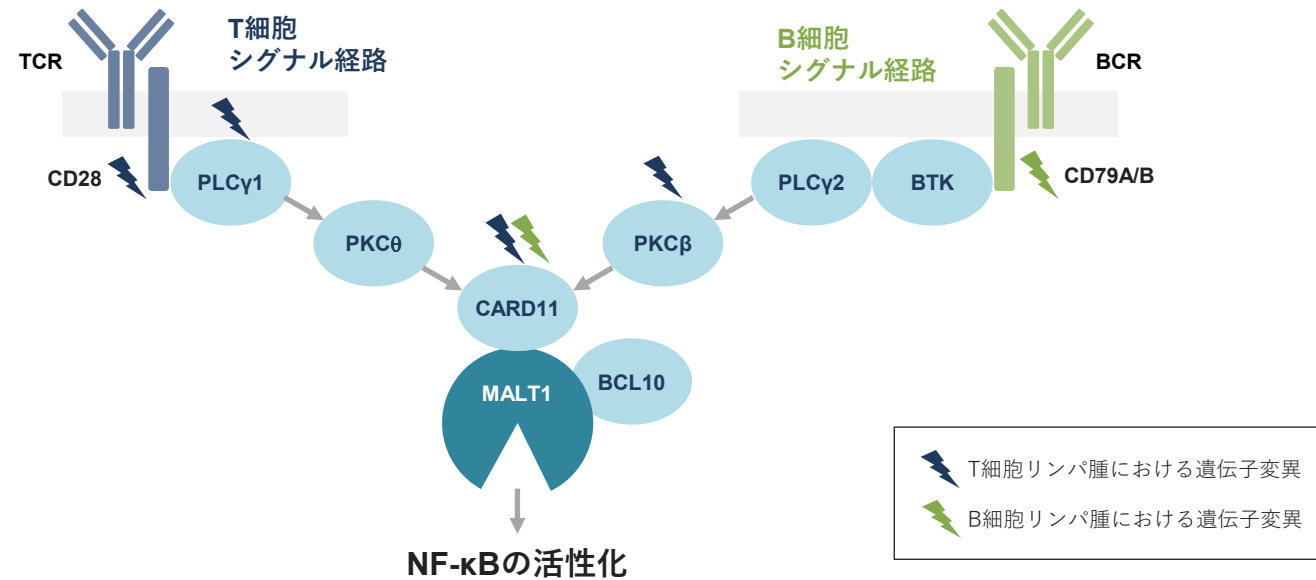
パイプライン	治験実施機関	ステージ (開始時期)	対象となる疾患	その他	臨床試験情報 (ClinicalTrials.gov)
HC-7366	Hibercell	第1相臨床試験 (2022/02/23~)	固形がん および 急性骨髄性白血病	GCN2 activator	Study Details NCT05121948 A Study of HC-7366 to Establish the Maximum Tolerated Dose (MTD) and Recommended Phase 2 Dose (RP2D) ClinicalTrials.gov
NXP800	Nuvectis Pharma	第1相臨床試験 (2021/12/31~)	ARID1変異卵巣がん および 胆管がん	GCN2 activator	Study Details NCT05226507 A Phase 1 Clinical Study of NXP800 in Subjects With Advanced Cancers and Expansion in Subjects With Ovarian Cancer ClinicalTrials.gov
DCC-2812	Deciphera Pharmaceuticals	第1相臨床試験 (2025/08/27~)	固形がん	GCN2 activator	Study Details NCT06966024 Study of DCC-2812 in Participants With Advanced Genitourinary Cancers ClinicalTrials.gov
APL-4098	Apollo Therapeutics	第1相臨床試験 (2024/06/04~)	急性骨髄性白血病 および 骨髄異形成症	GCN2 inhibitor	Study Details NCT06372717 A Study to Investigate APL-4098 Alone and/or in Combination With Azacitidine in R/R AML and High-Risk MDS ClinicalTrials.gov
NMS-812	Nerviano Medical Sciences	第1相臨床試験 (2022/09/09~)	多発性骨髄腫 および 急性骨髄性白血病	PERK/GCN2 inhibitor	Study Details NCT05027594 Ph I Study in Adult Patients With Relapsed or Refractory Multiple Myeloma ClinicalTrials.gov
—	Merck KGaA	前臨床	—		NA
—	RAPT Therapeutics	前臨床	—		NA

(RNA制御ストレス以外) CTX-177(MALT1 阻害薬)

- 権利返還を受け、再導出に向けたパートナーシップを検討（提携交渉・導出条件検討、等）

- 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

作用機序



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) Mucosa Associated Lymphoid Tissue proteinの略、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_CTX-177(MALT1阻害薬)

MALT1阻害薬における競合他社（当社の見解） 2025年11月1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	臨床試験情報 (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		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		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
REC-3565	Recursion Pharmaceuticals	第1相臨床試験 (2025/03/31~)	B細胞性リンパ腫		Study Details NCT06980116 Dose Determining Study of EXS73565 in Participants With Relapsed or Refractory B-Cell Malignancies ClinicalTrials.gov

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し、順調に登録済国数は増加

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
rogocekib 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
	PCT/JP2025/000724	2024年1月12日	2025年7月17日	WO2025/150571	—	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	16	武田薬品工業
	PCT/JP2021/019911	2020年5月27日	2021年12月2日	WO2021/241611	1	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
(CDK12阻害薬)	PCT/JP2019/013531	2018年3月29日	2019年10月3日	WO2019/189555	50	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	49	武田薬品工業

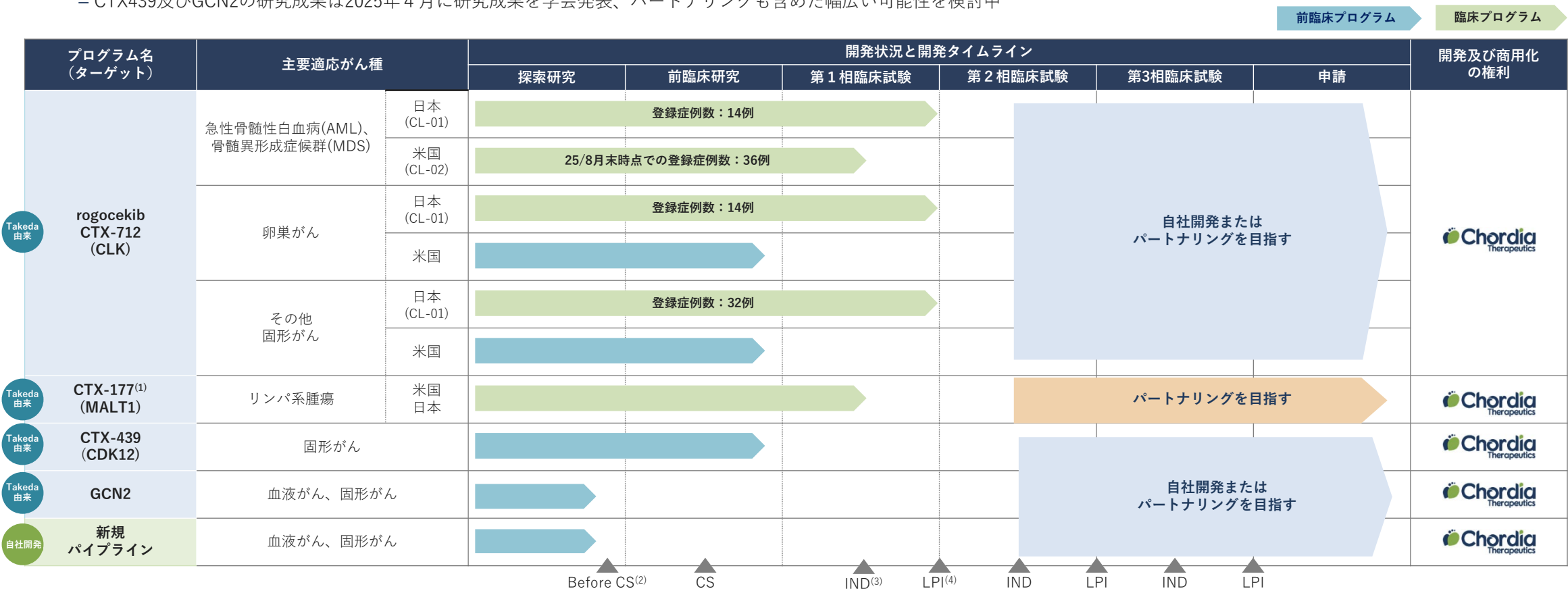
目次

1. 事業戦略と価値創造
 2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
 3. パイプラインの特徴と進捗
 4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
 5. 財務状況とリスク要因
- Appendix.

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、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（rogocekib、CTX-177）に加え、1つのアセット（CTX-439）では安全性試験・治験原薬の製造が完了
- CTX-177(MALT1)については小野薬品から権利が返還され、再導出に向けて積極的にパートナー候補を検討中
- CTX439及びGCN2の研究成果は2025年4月に研究成果を学会発表、パートナーリングも含めた幅広い可能性を検討中



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) rogocekib, 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）

rogocekibの対象疾患：急性骨髄性白血病（AML）とは

急性骨髄性白血病（AML）の概要

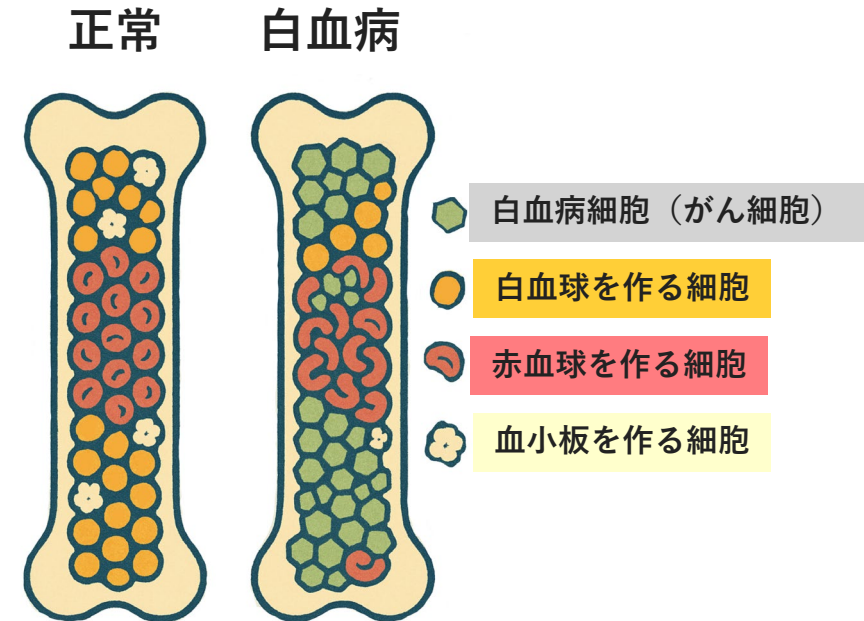
- ✓ 血液のがんの一種で、骨髄で血液を作る細胞に異常が生じ、未熟な白血球（芽球）が過剰に増え、**放置すると数週間～数か月で命に関わる重い病気（5年生存率30%）**
- ✓ この異常細胞が骨髄を占拠するため、正常な血液が作れなくなり、
 - 貧血（だるさ、息切れ）
 - 感染症（免疫力低下）
 - 出血しやすい（あざ、鼻血）、等の症状が出現する

AMLの治療法

- ✓ 一般的な治療法
 - 体力がある人（若年者）は、**強力な抗がん剤治療（化学療法）でがん細胞を減らし、必要な場合には造血幹細胞移植を行う**
 - 高齢者や体力がない人は、強い治療は難しいため、**副作用を抑えた薬の組み合わせ（分子標的薬＋低強度治療）や支持療法を選ぶ**
- ✓ 新規薬（BCL2阻害薬、FLT3阻害薬、メチル化阻害薬、等）導入で改善が期待されるが、**難治例や再発、忍容性の問題（注）により予後は依然として不良であり、新規作用機序の開発が望まれている**

（参考文献）

日本血液学会 造血器腫瘍診療ガイドライン（2024年版）日内会誌 113: 1215～1217, 2024



正常な骨髄では白血球、赤血球、血小板が一定比率で産生されるが、**白血病では腫瘍細胞が増殖し造血細胞が減少、血球産生が低下する。**その結果、貧血、易感染性、出血傾向などが生じる。

【注】

難治：治療により一時的に症状/病態が改善した後、再び同じ疾患が臨床的に認められる状態

再発：標準的な治療に対して十分な効果が得られない、または治療抵抗性を示す状態

忍容性の問題：治療に伴う副作用や有害事象が強く、患者が治療を継続できない状態

rogocekib 日本第1相試験結果：AMLを中心とした開発戦略

～日本での有望な結果を基に米国試験を進行中～

- 日本における第1相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

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
	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。
	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

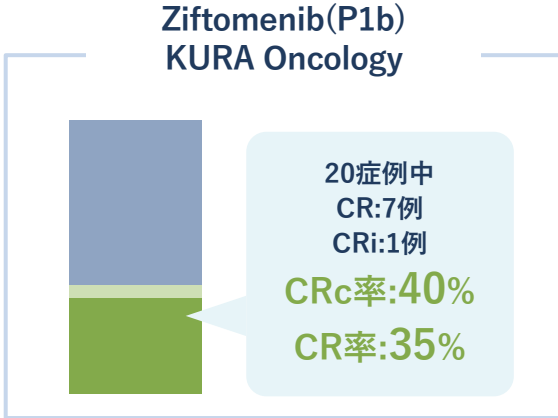
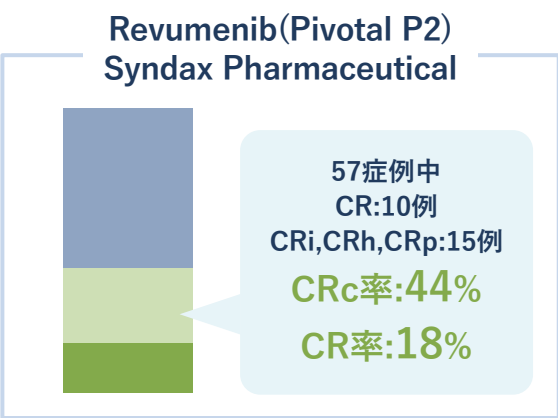
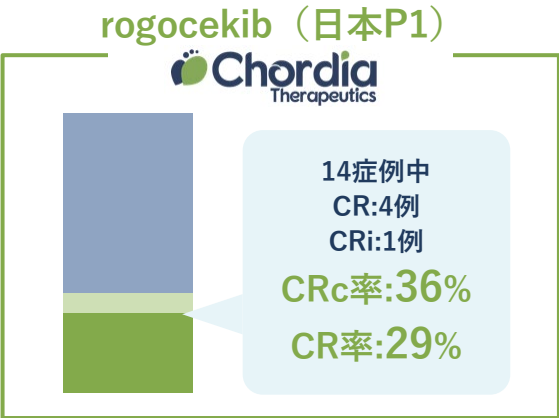
1)GlobalData Forecast to 2029 (June 2020), 2) National Cancer Institute Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program _ Leukemia — Acute Myeloid Leukemia (AML) (2019年), 3)Survival Rates and Outlook for Acute Myeloid Leukemia (AML) Updated on April 7, 2022, 4)造血器腫瘍診療ガイドライン2018年版補訂版, 5) AML 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),

FDA承認薬との比較で見えるrogocekibの競争力

～承認薬と同等以上の成績を示し、競争力を確保～

●単剤で承認または承認申請間近の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

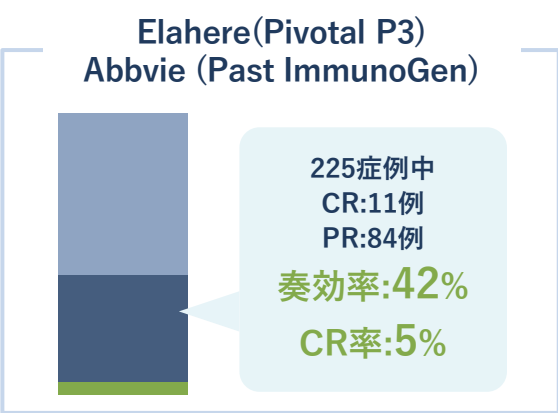
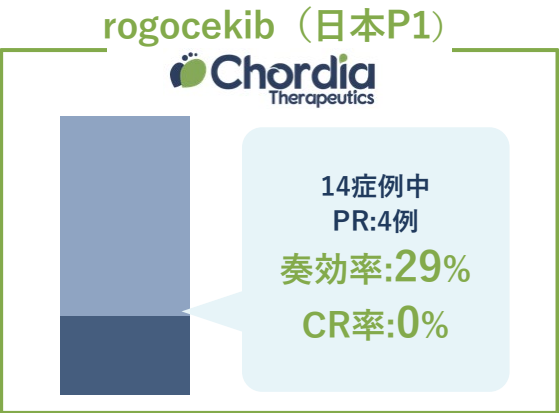
AML



2024年にP2結果で承認

Pivotal P2試験中

卵巣がん



2024年FDAにて承認済み

- CR (固形がんおよび血液がん)
- がん細胞が体内からなくなった正常な状態
- CRc (血液がんのみ)
- がん細胞が一時的に体内からなくなった状態。正常血液細胞の回復は問わない
- PR (固形がんのみ)
- 腫瘍体積が1/3以下になった状態

- : CR
- : CRc
- : PR (固形)
- : 奏効なし

CTX-712(CLK阻害薬) rogocekibの開発マイルストーン

～日米96名症例登録と臨床試験のプロセスが着実に進捗～

- FDAが提唱する「Project Optimus」の理念に基づき、患者の安全性と治療効果の最大化を目指し、より精度の高い用量設定に向けて開発スケジュールを見直している。用量設定の最適化により、品質向上と承認後の臨床的価値最大化を目的としている。
- 臨床試験の症例組入は着実に進行中(日米96名症例登録済)、米国FDAから希少疾病用医薬品（Orphan Drug）指定を受理する等、規制当局との連携も順調に進んでおり、臨床試験のプロセスは着実に進捗。

2025年8月時点での達成状況			現時点での想定マイルストーン		
<input checked="" type="checkbox"/>	2024年下期	CTX-712の医薬品一般名称（rogocekib）決定	<input type="checkbox"/>	2026 中期	rogocekib の米国臨床試験の第1相中間成績公表
<input checked="" type="checkbox"/>	2025年上期	rogocekib のOrphan drug designationの申請	<input type="checkbox"/>	2027 中期	rogocekib の日本／米国臨床試験の第2相試験開始
<input checked="" type="checkbox"/>	2025年8月末	rogocekib の 日米96名症例登録済	<input type="checkbox"/>	2028 後期	rogocekibの日本での販売承認申請
			：実施中		

CY2024		CY2025		CY2026		CY2027		CY2028	
上期	下期	上期	下期	上期	下期	上期	下期	上期	下期
日本第1相試験 (AML/MDS等)									
米国第1/2相臨床試験の第1相パート AML/MDS									
▲ 中間成績公表								第2相パートは日米で実施予定 (注)	
								販売承認申請 (注)	

(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

米国FDAオーファンドラッグ指定取得：承認への重要な一歩

- CLK 阻害薬 rogocekib に対して、米国FDAよりオーファンドラッグ指定（希少疾病用医薬品指定）を2025年1月に取得
- FDAとの早期協議を通じ、承認戦略を強化しrogocekibの価値を裏付け

米国での希少疾病用医薬品指定を受けるメリット

- 承認時申請手数料の免除
- 税制優遇
- 承認後最長7年間のデータ保護



FDAとの対話で戦略的に進捗
→承認確率の向上＋価値最大化

FDA Project Optimus 対応：用量最適化で承認確率を高める

- Project Optimusは、既承認の抗がん薬において、毒性や忍容性の問題で承認された用量では使用継続が困難な事例が見受けられることを背景にしてFDAより提唱された、**抗がん薬の開発における用量設定の最適化を目的としたガイダンス**である。
- FDAが提唱する「Project Optimus」の理念に基づく**用量の最適設定により安全性・有効性を最大化させ、承認戦略を強化する**

Guidanceの主たる内容

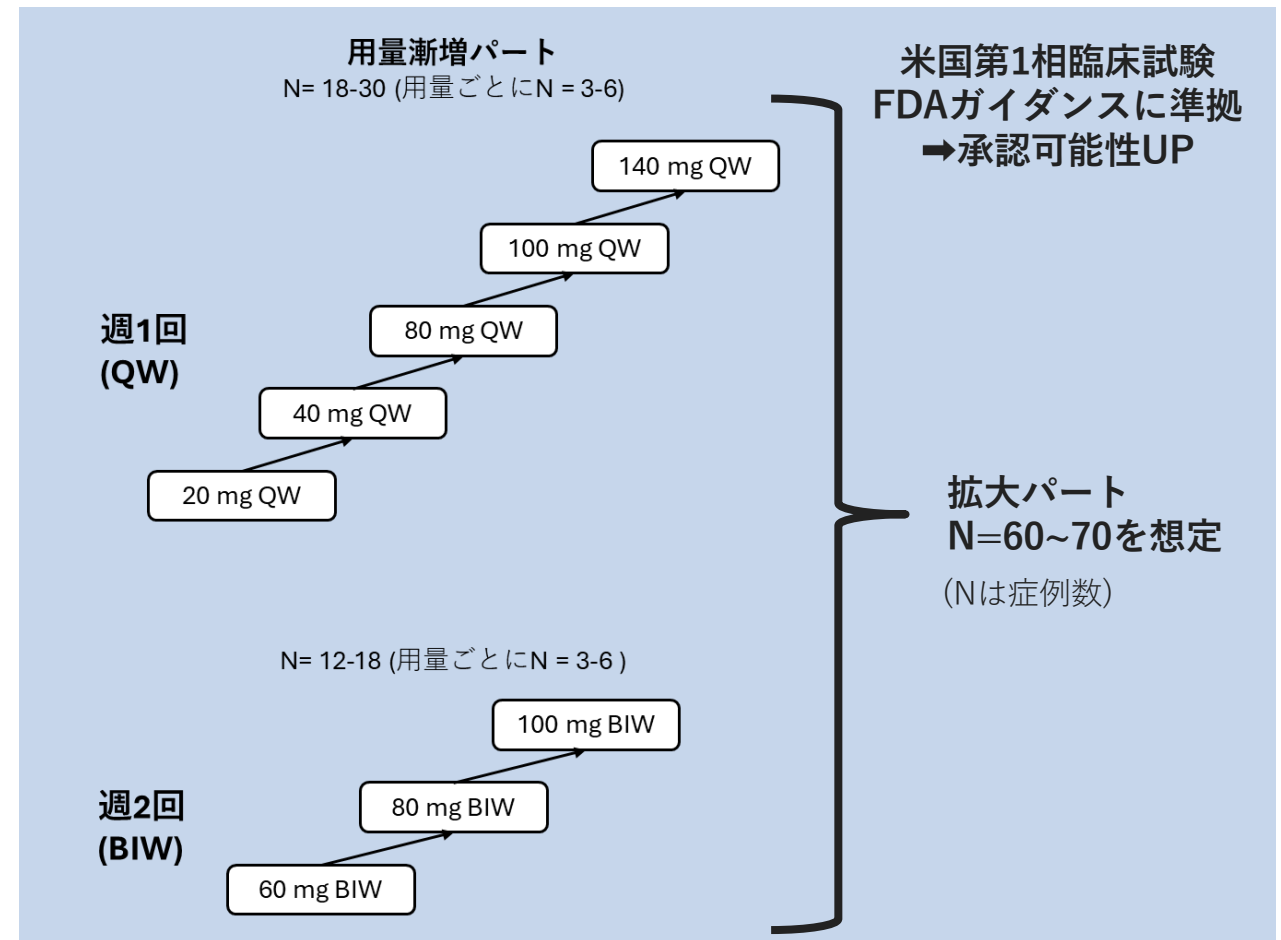
- 科学的で統合的な用法・用量の設定の重要性
 - 臨床試験で幅広い用法・用量の検討
 - PK, PD, 用量反応解析の活用
 - 非臨床試験データの活用



当社の対応

- 科学的で統合的な用法・用量の設定の重要性
 - 週1回に加えて週2回の用法の検討も行う
 - 拡大コホートで複数の用法・用量の比較検討を行う

PK：Pharmacokinetics薬物動態の略で、薬物投与後の体内薬物濃度の推移
PD：Pharmacodynamics薬力学の略で、生体や細胞に対する薬物の作用



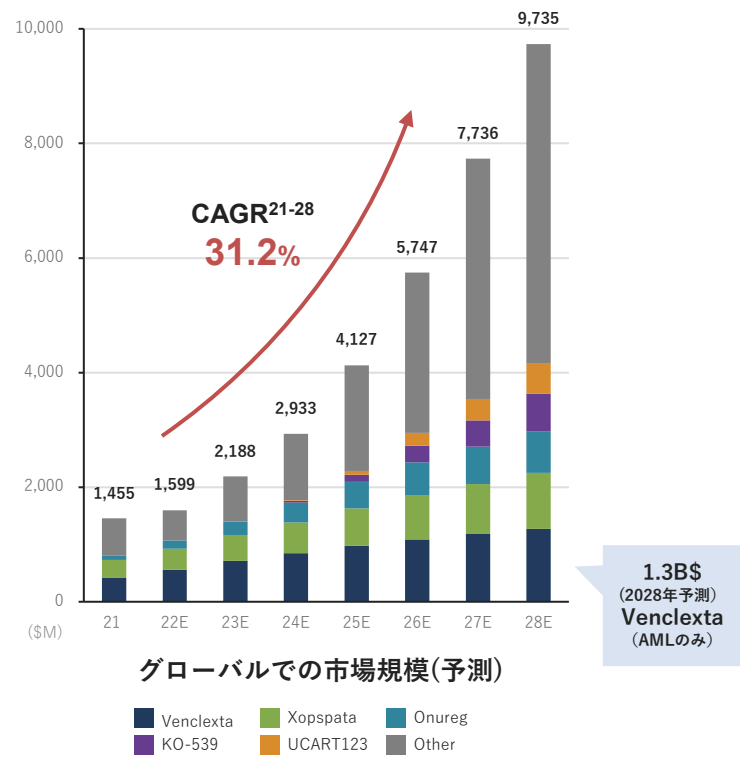
目次

1. 事業戦略と価値創造
 2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
 3. パイプラインの特徴と進捗
 4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
 5. 財務状況とリスク要因
- Appendix.

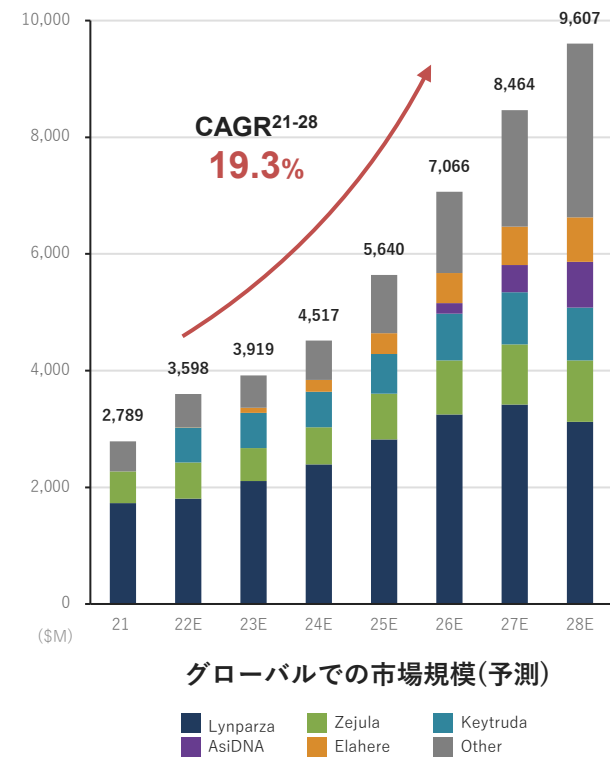
高成長市場を狙う rogocekib：AML CAGR31.2%の急成長 (1)

●日本第1相臨床試験で奏功を示したAML/卵巣がんの市場は急成長であり、rogocekibは高い収益ポテンシャルを有している

急性骨髄性白血病（AML）



卵巣がん



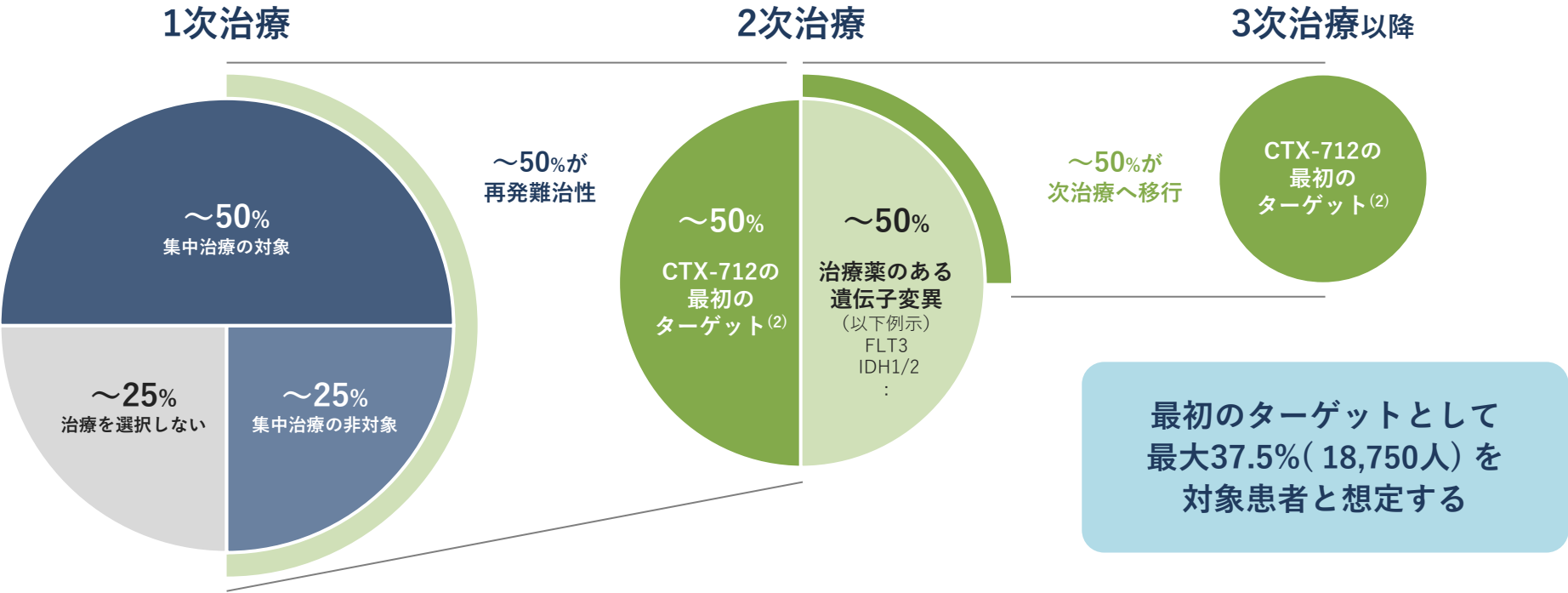
(1) AMLに対する有効性を含む様々な前提に基いたrogocekibが潜在的に対象とする全世界での最大の市場規模の概算である。実際の市場規模はかかる概算と大幅に異なることがある
(2) 出典：Evaluate Pharma, (2023年1月30日時点)

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⁾

● : rogocekibの最初のターゲットと想定する患者層



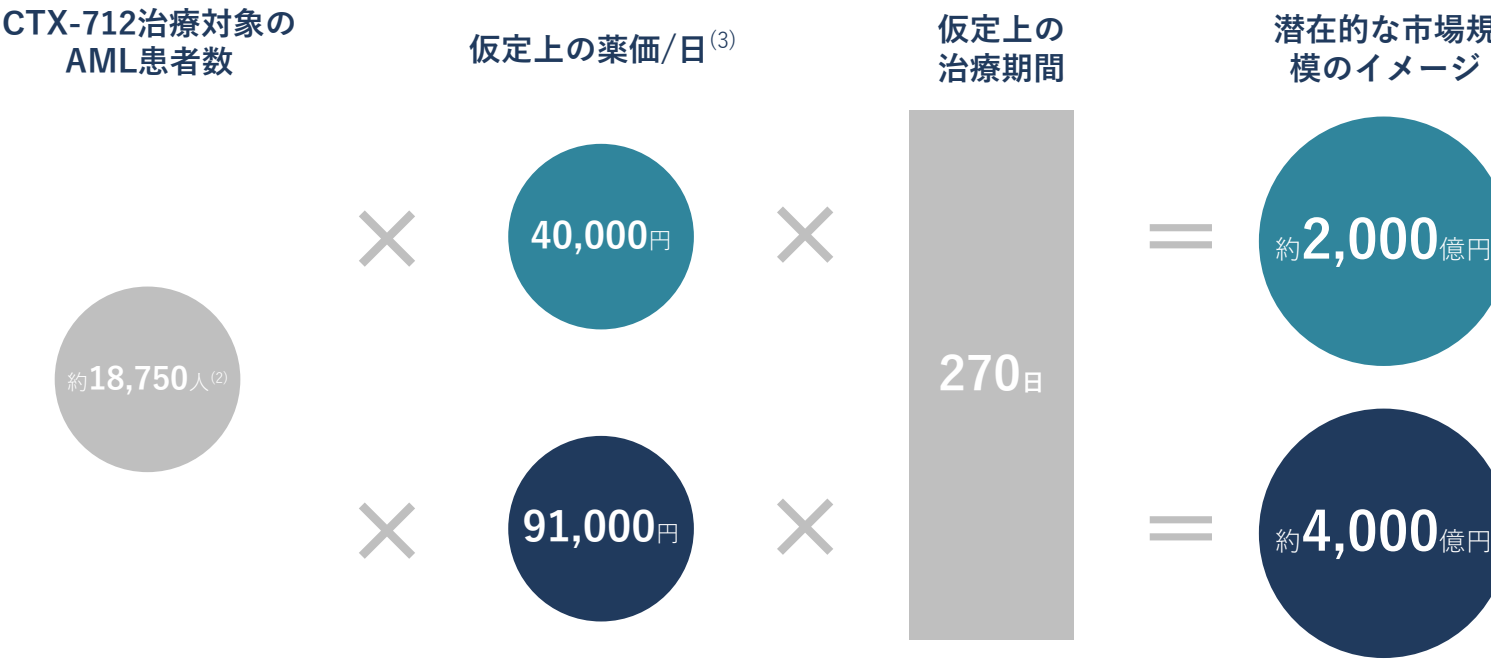
(1) Global Data AML epidemiology forecast to 2029を基にした当社概算(Global Data 2020)
(2) 当社は、一次治療 (1st line therapy) に関わらず、AML患者のおおよそ50%までが二次治療 (2nd line therapy) を受け、治療薬のある遺伝子変異(FLT3, IDH1, IDH2等)を持たない二次以降の治療 (2nd line therapy~) の患者のおおよそ50%までがCTX-712の潜在的な対象となり、3次治療以降を必要とする患者を対象として見積もっている。

未充足市場に挑む革新的低分子抗がん薬「rogocekib」

～急性骨髄性白血病(AML) 2次治療以降の市場規模2,000億円以上×高成長市場～

- アンメットメディカルニーズが極めて高い急性骨髄性白血病（AML）の二次治療以降を初期適応として想定。対象市場規模は2,000億円超を見込んでいる。AML治療薬のグローバル市場にて高い成長が見込まれている、有望な領域である。

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2025年11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) 患者数はGlobal Data 2020における2029年時点の推定患者数をもとに推計

(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)

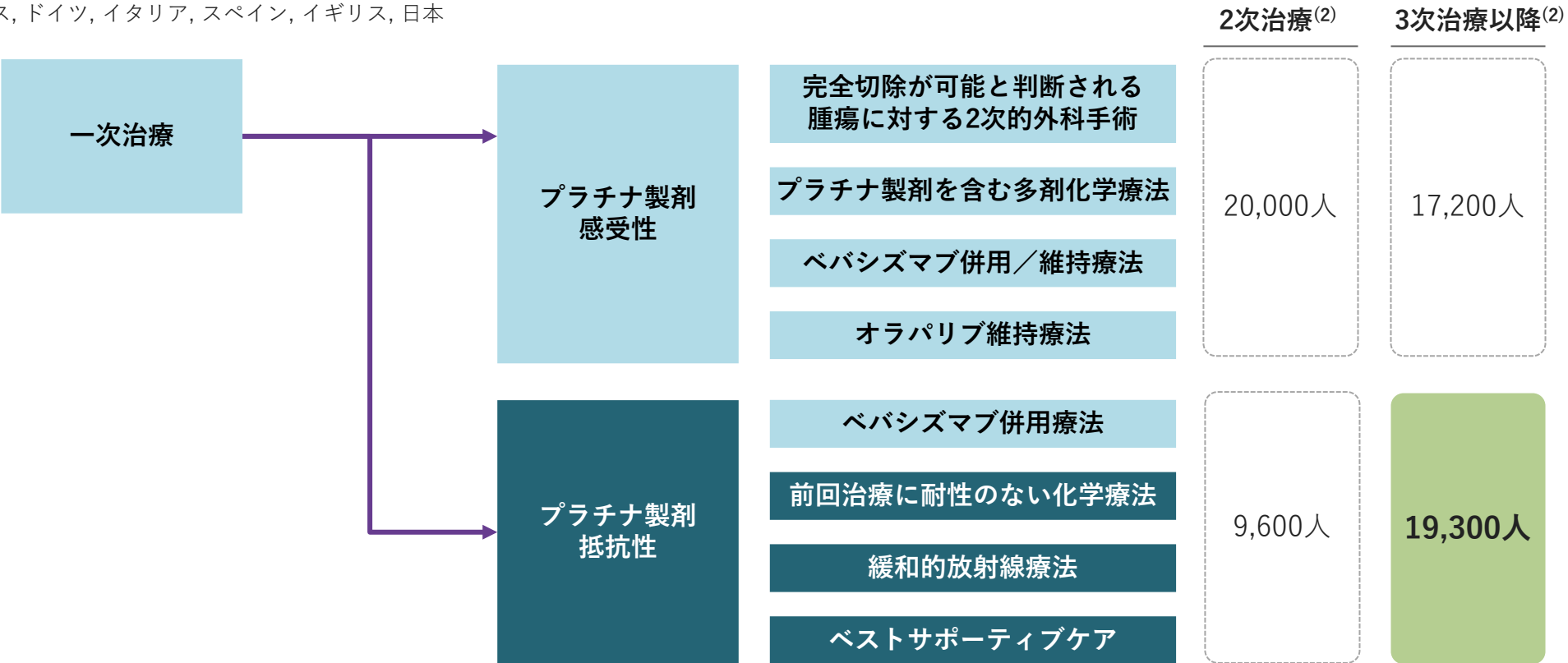
(4) Xospataの国際共同第Ⅲ相試験における生存期間の中央値である9.3か月を参考に当社が推定

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

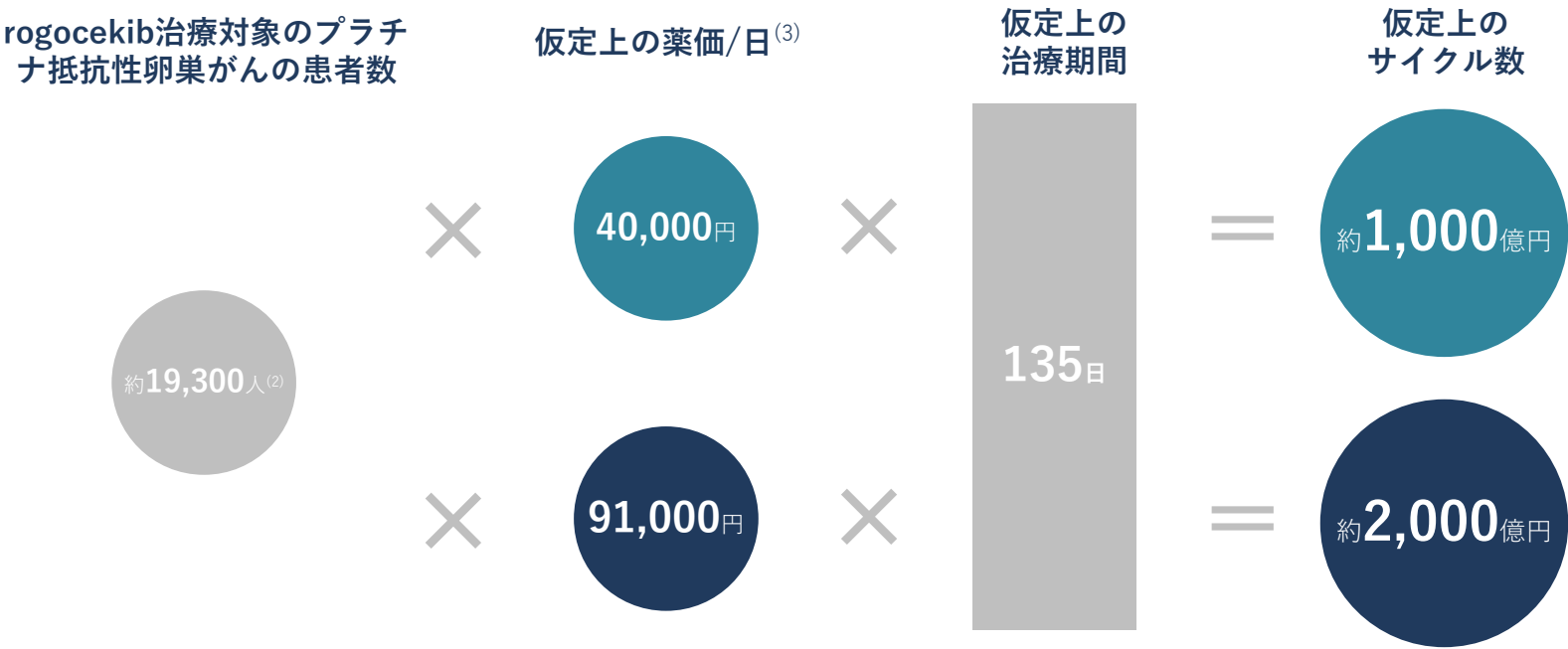


(1) 卵巣がん・卵管癌・腹膜癌治療ガイドライン2020年版 | 公益社団法人 日本婦人科腫瘍学会 (jsgo.or.jp)
(2) 2019年Global Dataより、2028年時点より引用。ただし、プラチナ製剤抵抗性の3rd Lineについては、3rd Line, 4th Line, 4th Line Switch Overの合計としている

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2025年11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)

競争環境_CTX-712(CLK阻害薬) rogocekib

CLK阻害薬を開発している競合他社（当社の見解） 2025年11月1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	臨床試験情報 (ClinicalTrials.gov)
Cirtuvivint (SM08502)	Biosplice	第1相臨床試験 (2025/08/15~)	再発又は難治性のAML及び MDS	ASTX727との併用 NCIスポンサー	Study Details NCT06484062 Testing the Anti-cancer Drug, Cirtuvivint, and Its Combination With ASTX727 to Improve Outcomes in Patients With Acute Myeloid Leukemia and Myelodysplastic Syndromes ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/12から開始予定)	BRCA/HRD陽性でプラチ ナ製剤抵抗性卵巣がん	Olaparibとの併用 University of Coloradoスポンサー	Study Details NCT06856499 Cirtuvivint/Olaparib in Breast Cancer Susceptibility Gene/Homologous Recombination Deficiency Platinum Resistant Ovarian Cancer ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/01/15~)	進行軟部組織肉腫	SELNETスポンサー	Study Details NCT07032285 Cirtuvivint in Selected Advanced Soft-Tissue Sarcomas ClinicalTrials.gov
		第1相臨床試験 (2025/12から開始予定)	小細胞肺がん	イリノテカンとの併用 Washington University スポンサー	Study Details NCT07155200 Small Cell Lung Cancer Irinotecan and CDC2-like Kinase Inhibition Trial (SLICK Trial) ClinicalTrials.gov
BH30236	BlossomHills Therapeutics	第1/1b相臨床試験 (2024/06/19~)	再発又は難治性のAML及び MDS	単剤及びVenetoclaxとの併用	Study Details NCT06501196 A Study of BH-30236 in Relapsed/Refractory Acute Myelogenous Leukemia and Higher Risk Myelodysplastic Syndrome ClinicalTrials.gov
—	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⁾

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。

目次

1. 事業戦略と価値創造
2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
3. パイプラインの特徴と進捗
4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
5. 財務状況とリスク要因

Appendix.

直近の財務状況と今後の方針

- 当面の事業活動を継続するために必要な資金は十分に有しており、2025年9月に発行した新株予約権により将来的な資金調達手段を確保（2025年10月末時点で新株予約権の行使により139百万円資金調達完了（第9回新株予約権の進捗率11.5%））
- rogocekibに経営資源を集中させる一方、その他のパイプラインはパートナーリングを含めて柔軟に検討していく。

	単位：百万円		
	2024年8月期末 残高	2025年8月期 残高	増減
流動資産	4,605	2,669	△1,936
現金及び預金	4,329	2,548	△1,781
その他	276	121	△155
固定資産	26	12	△14
資産合計	4,632	2,681	△1,951
流動負債	471	244	△227
固定負債	-	-	-
負債合計	471	244	△227
純資産合計	4,161	2,437	△1,724
負債及び純資産合計	4,632	2,681	△1,951

	単位：百万円		
	2024年8月期 通期実績	2025年8月期 通期実績	増減
事業収益	-	-	-
直接費	-	-	-
R&D費用	1,499	1,425	△74
rogocekib (CTX-712)	1,018	1,070	+52
CTX-177	0	0	0
その他（含む人件費）	132	27	△105
その他一般管理費	347	331	△16
その他一般管理費	301	364	+63
営業損失	△1,801	△1,789	
営業外収益/特別利益	17	23	+6
営業外費用/特別損失	41	17	△24
税引前当期純損失	△1,824	△1,783	
法人税等	2	2	0
当期純損失	△1,827	△1,785	+42

リスク要因と対応方針

※リスクの詳細及びその他のリスクの内容については、有価証券報告書における【事業等のリスク】の記載を参照ください

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
	⚠ 競合に劣後する可能性	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	✔️ 迅速に開発を進め、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	⚠ 特定パイプラインに係る ライセンス契約の依存、 収益の変動と不確実性	収益計画の大部分をrogocekibに依存するため、収益が変動してしまうリスク	✔️ 迅速にrogocekibの開発を進め、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は再導出を進める
	⚠ ライセンス活動の不確実性	ライセンス契約先となる製薬会社から十分な評価をされず、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	人材の流出により事業遂行に支障をきたすリスク	✔️ 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、業界水準の待遇を維持し、新規採用も含め社内体制の強化を進める

リスク低減と価値最大化を両立する戦略を実行

上場時の調達資金使途

- 上場時に調達した資金については、rogocekib(CTX-712)の米国第1／2相臨床試験の研究開発費に充当中

CTX-712に係る研究開発費

		用量 漸増コホート (～2025年12月)	拡大コホート 2026年8月期	合計
CTX-712 (CLK阻害薬)	米国 第1／2相臨床試験 (血液がん/AML 2次治療)	771百万円	692百万円	1,463百万円
合計		771百万円	692百万円	1,463百万円

目次

1. 事業戦略と価値創造
2. R&Dフォーカス：RNA制御ストレスという未踏領域
3. パイプラインの特徴と進捗
4. リードパイプラインの市場環境と競合分析
5. 財務状況とリスク要因

Appendix.

AML低分子抗がん薬 ライセンスディール

当社パイプラインの特性（緑色の欄が考慮要素）を踏まえ、類似性の高い事例を選定しています。

抽出ディール													
取引 日付	会社名	相手先	製品	作用機序	First-in- class	Deal時 ステータ ス	国 (マーケット)	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 (%)
2024	Kura	Kyowa Kirin	ziftomenib	Menin阻害薬	2番手	第2相	全世界	承認済	1674	330	非開示	非開示	段階的 2桁
	Rigel	Kissei	olutasidenib	IDH1阻害薬	2番手	承認済	日本/韓国/ 台湾	承認済	162.5	10	非開示	非開示	20-30%
2023	Kronos Bio	Genentech	NA	転写因子標的	1番手	非臨床	非開示	終了	574	20	非開示	非開示	段階的 1桁台 前半から後半
	Cstone	Servier	ivosidenib	IDH1阻害薬	1番手	承認済	中国/香港/マカオ/台湾/ シンガポール	承認済	50	44	非開示	非開示	非開示
2022	Agios	Sagard Healthcare	ivosidenib	IDH1/2阻害薬	1番手	承認済	米国のみ	承認済	331.7	131.7	非開示	非開示	非開示
	FORMA	Rigel	olutasidenib	IDH1阻害薬	2番手	第2相	全世界	承認済	235	2	165	68	段階的 10%後半～30%中間
	Takeda	Puma	alisertib	AuroraA 阻害薬	競合 8品目	第2相	全世界	第2相	301.3	7	非開示	非開示	段階的
	GenFleet	SELLAS Klinikon	tambiciclib dimaleate	CDK9阻害薬	競合 15品目	第1相	全世界 (中国香港マカオ台湾除く)	第2相	150	10	非開示	非開示	段階的 1桁台 前半から後半
2021	Hanmi	Aptose	tuspetinib hydrate	FLT3/SYK 阻害薬	4番手	第2相	全世界	第2相	457.4	5 + 7.5 Equity	非開示	非開示	段階的
	Accent	Ipsen	NA	METTL3調節薬	競合 2品目	非臨床	非公開	非公開	446	非開示	非開示	非開示	段階的 1桁台後半～2桁台前半
	Ascentage	Innovent Biologics	olverembatinib	BCR-ABL1 阻害薬	7番手 承認済	申請	中国	承認	245	30 + 50 Equity	非開示	非開示	equally split the profit
	Cleave	CASI	CB-5339	VCP/p97阻害薬	1番手	第1相	全世界	非公開	72.5	5.5	非開示	非開示	段階的 1桁台後半～2桁中盤
2020	Kymera	Sanofi	KT-474	IRAK4阻害薬	競合 4品目	非臨床	全世界	終了	2150	150	非開示	非開示	非開示
	Daiichi Sankyo	AnHeart	DS-1001	IDH1阻害薬	4番手	第2相	全世界 (日本を除く)	第2相	110	9	56	45	1桁台後半
	Agios	Royalty Pharma	enasidenib	IDH2阻害薬	1番手	承認済	Agios分の全世界の権利 AgiosはBMSと共同開発	承認済	225	225	非開示	非開示	非開示
2019	Cantex	Chimerix	dociparstat	CXCL12/CXCR4軸 阻害	1番手	第2相	全世界	終了	617.5	30 + α Equity	非開示	非開示	段階的10%から 10%台後半未満
	Triphase	Celgene	TRPH-395	WDR5阻害薬	1番手	非臨床	非開示	非臨床	980	40	非開示	非開示	非開示

* 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
経済条件のデータが開示されている会社で、右条件にて抽出「Indication: acute myelogenous leukemia」「Technology: Small molecule」「Agreement type: Drug-Development/Commercialization License and Company M&A」 from 2020
出典：右記のデータベースから当社作成（Cortellis® 2025年11月18日時点 ©Clarivate）

AMLでは複数の新薬がPhase2で承認を受けている

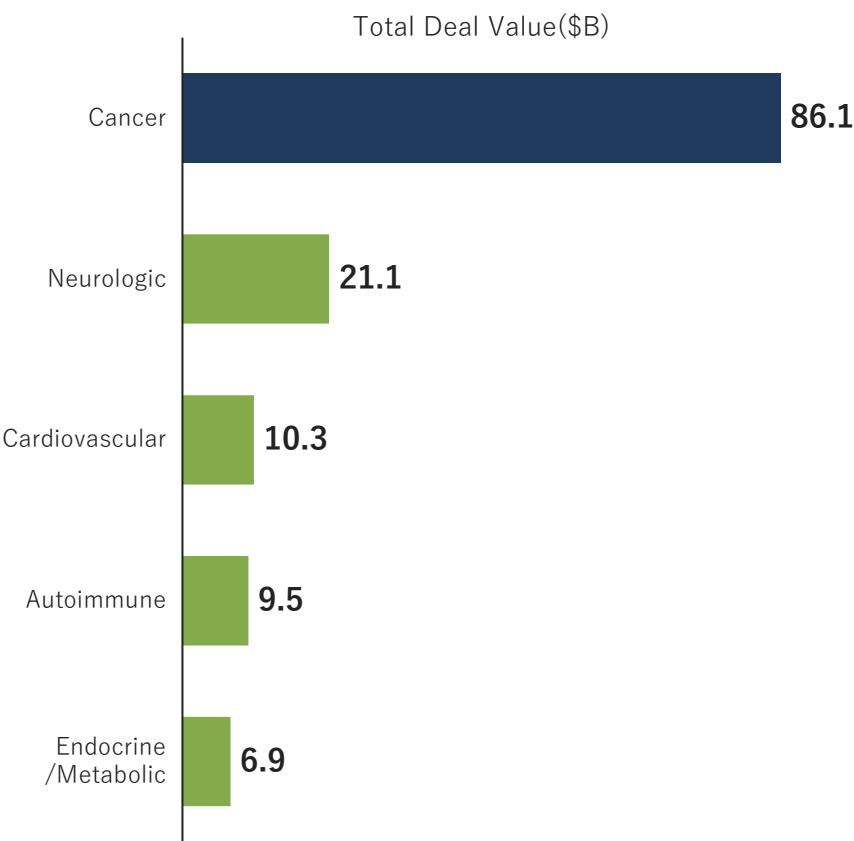
●直近で承認された8つの承認薬のうち6つがPhase2のステージにて承認を受けている

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	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

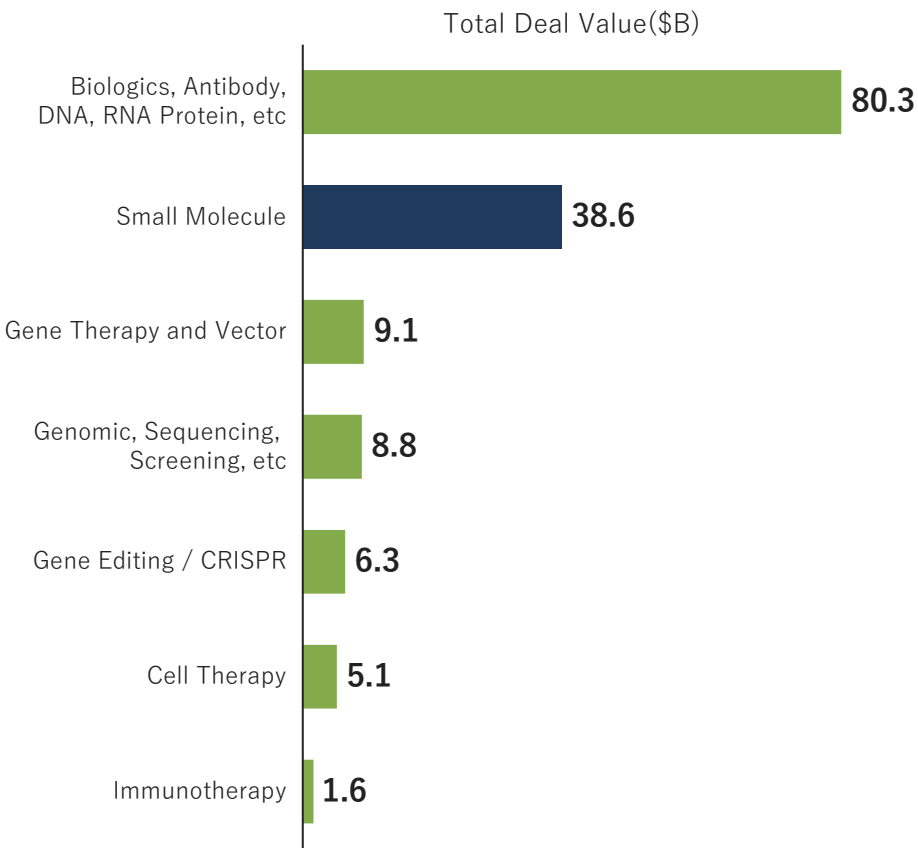
出典：ClinicalTrials.govを参照として当社により作成

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

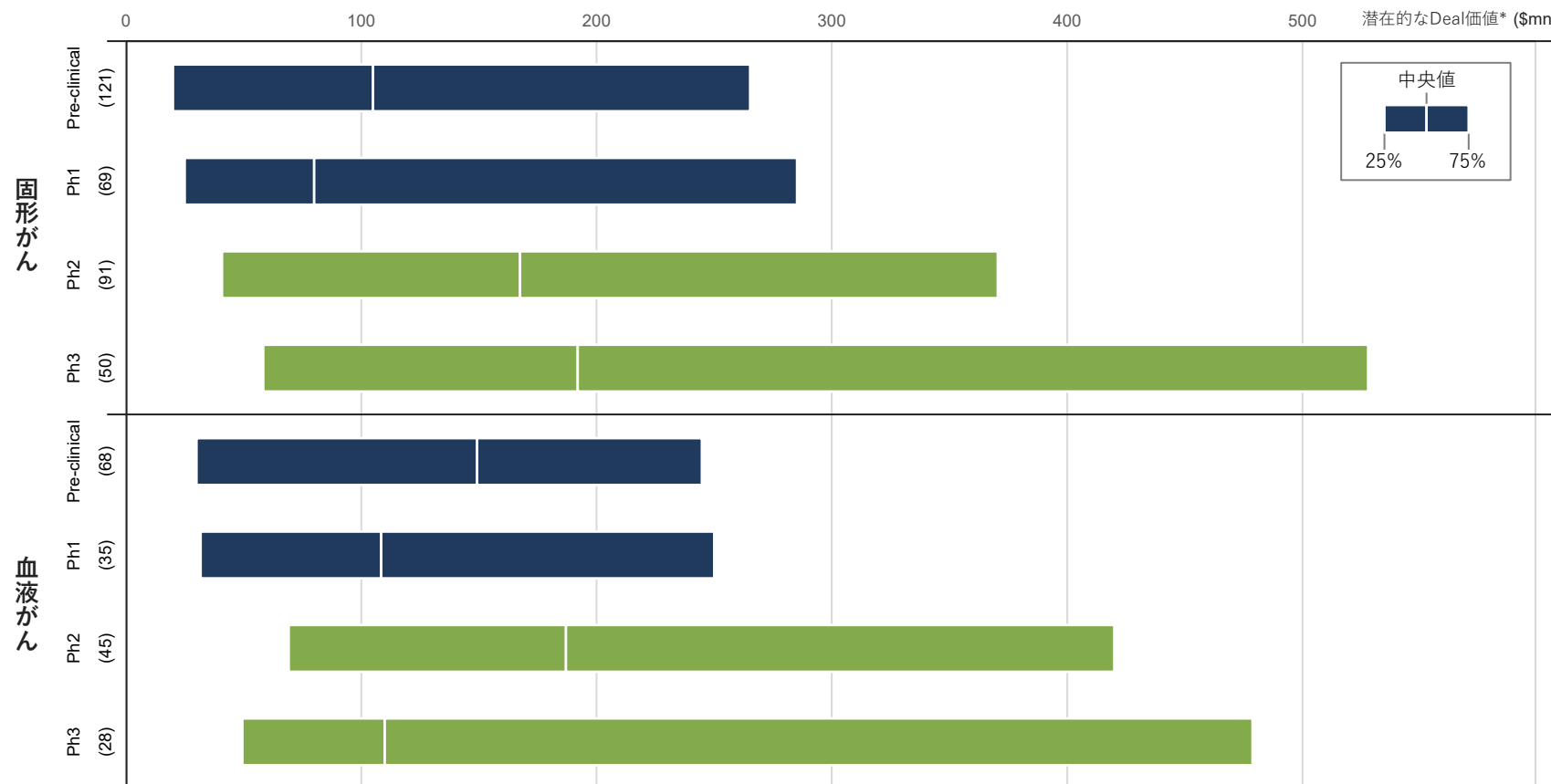


モダリティ別での公表された2023年のライセンス総額



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

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。

