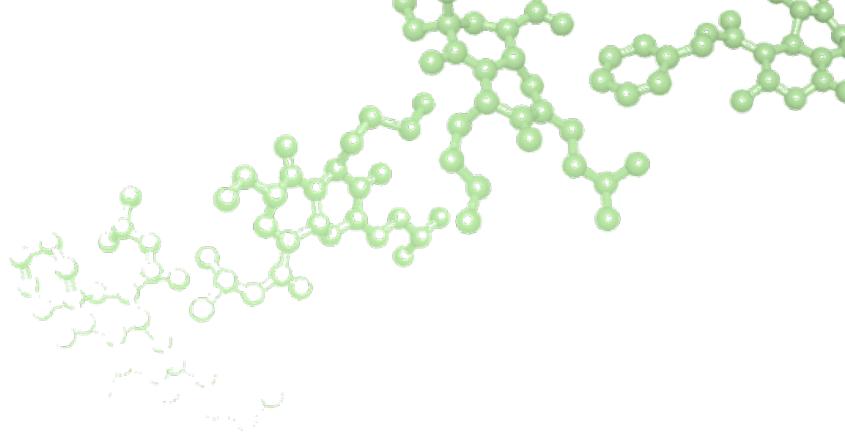




PRISM
BioLab

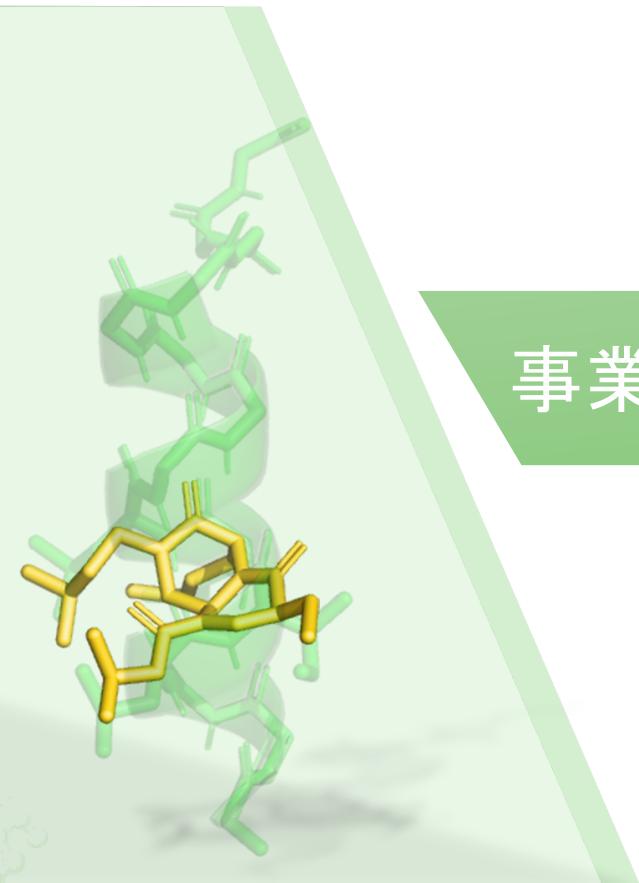


事業計画及び成長可能性に関する説明資料

Leading Drug Discovery Technology Platform for PPI Modulation

December 24, 2025

株式会社PRISM BioLab



免責事項

本資料は、株式会社PRISM BioLab（以下「当社」といいます）の企業情報等の提供のみを目的として作成されたものであり、日本、米国その他の法域における当社の発行する株式その他の有価証券への勧誘を構成するものではありません。

当社は、本資料に含まれる情報または意見の公平性、正確性、完全性または正当性について、明示的または默示的に表明または保証をするものではありませんので、これらに依拠することのないようお願いします。本資料の使用または内容等に関して生じたいかなる損害について、当社は一切の責任を負いません。また、本資料の内容は事前の通知なく大幅に変更されることがあります。

本資料は、本資料の作成時点における入手可能な業界、市場動向または経済情勢等の情報に基づき作成されたものであり、その後に発生する事象に基づき影響を受ける可能性があります。なお、本資料の次回更新は、2026年12月頃を目途として行う予定です。

本資料には、当社の現在の見通し、予想、目標、計画などを含む将来に関する見通しが含まれています。このような将来に関する見通しは、当社が本資料の日付現在において入手可能な情報を踏まえた、当社の現在の前提及び見解に基づくものであり、経営陣による将来の業績の保証を表すものではありません。当社は、将来に関する見通しであることを示すために、全てではありませんが、多くの場合、「目的」、「予想」、「確信」、「継続」、「努力」、「想定」、「期待」、「予定」、「意図」、「する場合がある」、「計画」、「見込み」、「可能性」、「予測」、「リスク」、「努める」、「るべきである」、「目標」、「する予定である」等の語句およびこれと同様の意味を有する語句を用いています。また、戦略、計画または意図の議論においても将来に関する見通しが含まれます。これらの見通しは、将来の予想を議論し、戦略を特定し、経営成績または当社の財務状態の予測を含み、または当社の事業および業界、将来の事業戦略ならびに将来において当社が営業を行う環境に関する当社の現在における予想、想定、見積もりおよび予測に基づくその他の将来に関する情報を記載するものです。既知および未知のリスク、不確実性およびその他の要因により、当社の実際の業績は、将来に関する見通しに記載されまたは示唆されるものとは大幅に異なる可能性があります。当社は、これらの将来に関する見通しに記載される予想が正確なものであることを保証することはできません。当社は、本資料に記載される将来の見通しに関する記載を更新し公表する義務を負いません。

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



会社概要

会社名	株式会社PRISM BioLab
代表取締役	竹原 大
設立年月日	2006年11月※
本社・研究所	神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番の1 湘南ヘルスイノベーションパーク
事務所	東京都中央区日本橋本町三丁目8番3号 日本橋ライフサイエンスビルディング3 301
事業内容	創薬技術開発及び創薬
資本金	1,730,911千円 (2025年9月末時点)
従業員数	39名 (2025年9月末時点)

Purpose

PepMetics[®]技術を活用して、だれもが希望に満ちた生活をするための新薬を創出します。

Mission

私たちは、自由な発想と積み重ねた技術で「あたらしい創薬」に挑戦し続けます。

Vision

「あたらしい研究」にチャレンジできる舞台に、多様な才能が集い、世界の新薬創出をリードします。

沿革

年月	概要
2006年11月	当社の前身であるPRISM BioLab(株)(旧(株)PRISM Pharma)を設立
2007年4月	神奈川県横浜市緑区に事務所及び研究所を開設
2011年4月	エーザイ(株)とPRI-724のガン分野におけるライセンス契約締結
2012年4月	社名を(株)PRISM Pharmaに変更すると共に、自社開発事業を中心に展開するため当社、(株)PRISM BioLabを新設分割により設立
2013年7月	エーザイ(株)との共同研究で経口剤となるE7386を創出し、当社研究成果をエーザイ(株)に導出(その後、E7386に資源集中するために2015年にPRI-724は契約解消)
2017年3月	製薬会社の創薬ターゲットに対してヒット化合物(*)を創出する共同開発事業を本格的に開始
2018年5月	大原薬品工業(株)にPRI-724のガン以外の分野における導出契約締結
2018年10月	当社が(株)PRISM Pharmaを吸収合併
2020年5月	Boehringer Ingelheim International GmbH社との間で、複数の創薬ターゲットに関する研究及び導出契約を締結
2020年7月	本社を湘南ヘルスイノベーションパーク(神奈川県藤沢市)内へ移転
2020年11月	Merck KGaA社との間で、複数の創薬ターゲットに関する研究及びライセンス契約を締結
2021年6月	フランスの製薬大手LES LABORATOIRES SERVIER社との間で創薬に関する業務提携契約を締結
2021年11月	エーザイ(株)と共同で創製したCBP/β-catenin阻害剤E7386について、臨床におけるPOC(Proof of Concept : 創薬概念の検証)を達成
2021年12月	製薬大手RocheグループのF. Hoffmann-La Roche Ltd.社及びGenentech, Inc.社との間で、研究及び導出契約を締結
2022年4月	大原薬品工業(株)に導出したPRI-724について、臨床におけるPOCを達成
2023年5月	大原薬品工業(株)と導出契約に基づく第Ⅱ相臨床試験の開始によるマイルストン達成
2023年11月	Eli Lilly and Company社との間で、複数の創薬ターゲットに関する共同研究及び導出契約を締結
2024年4月	小野薬品工業(株)との間でガン領域における創薬に関する導出契約を締結
2024年7月	株式会社東京証券取引所グロース市場に上場
2024年9月	東京都中央区に東京オフィス(東京都中央区)を開設
2025年11月	小野薬品工業(株)と導出契約に基づく創薬研究段階でのマイルストンを達成

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



PepMeticsがあたらしい創薬領域を創る可能性

タンパク質間
相互作用 (PPI)
は有望な創薬標的

PepMeticsが
あたらしい
創薬領域を
創る可能性

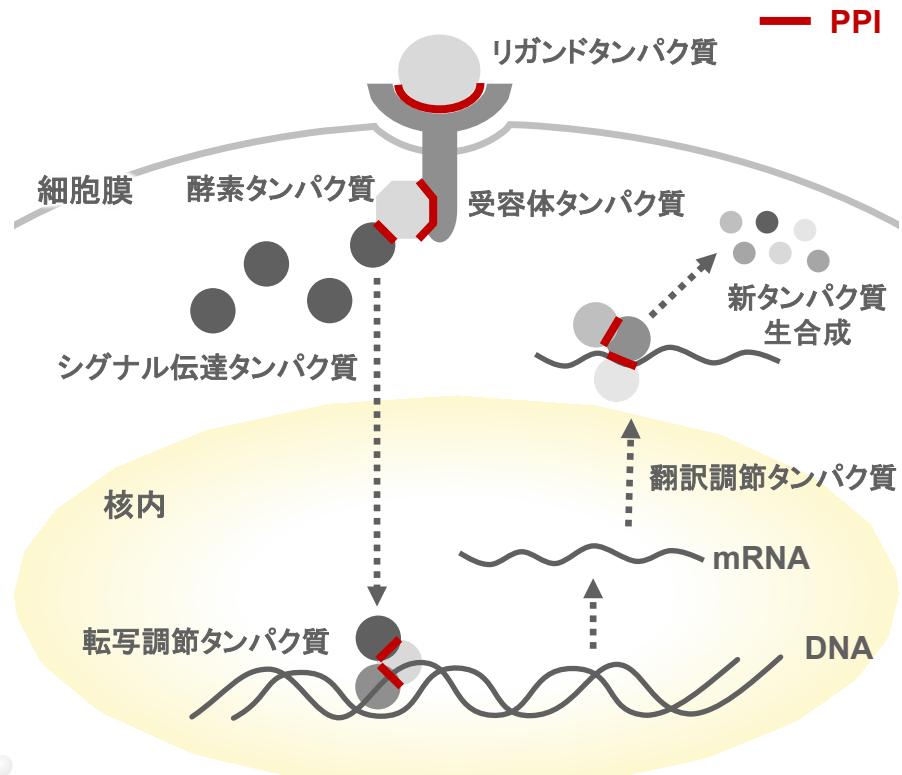
PepMeticsは
ヘリックス構造を
高い精度で模倣

PPIで
重要な役割を担う
ヘリックス構造

タンパク質間相互作用（以下「PPI」※）は有望な創薬標的

PPIは人体の発生、維持、疾患に深く関与し、重要な創薬標的となり得る

PPIは生命にとって重要な調節を担う



体内では健康を維持するため
様々なシグナル伝達のパスウェイに
PPIが関与している

PPIは重要な創薬標的となり得る

PPIに関する タンパク質（一例）	関連タンパク異常	関連する疾患の例
リガンドタンパク質	インスリン 欠乏	糖尿病
	成長ホルモン 過剰	先端巨大症
受容体タンパク質	NTRK1 機能異常	疼痛
	LDL受容体 機能異常	動脈硬化
酵素タンパク質・ シグナル伝達 タンパク質	リパーゼ 機能異常	高コレステロール血症
	APC 機能異常	大腸がん
転写調節タンパク質	IRF5 増加	全身性エリテマトーデス
	Myc 増加	神経芽腫
翻訳調節タンパク質	eIF4E 増加	難治性乳がん
	FMRP 機能異常	発達障害

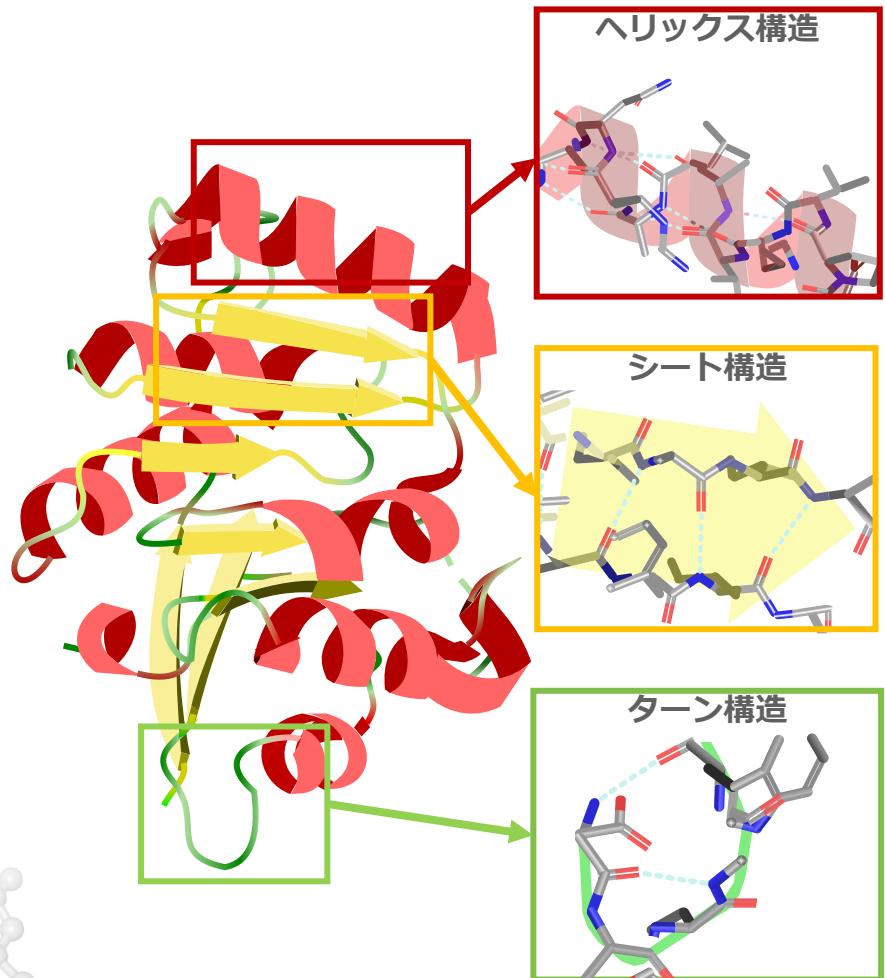
※：インスリン、成長ホルモン、NTRK1、LDL受容体、リパーゼ、APC、IRF5、Myc、eIF4E、FMRP：これらすべて体内にあるタンパク質の一種

PPIを創薬標的にする新規薬剤を創出できれば
多くの疾患領域に新たな治療アプローチを
提供できる可能性

PPIで重要な役割を担うヘリックス構造

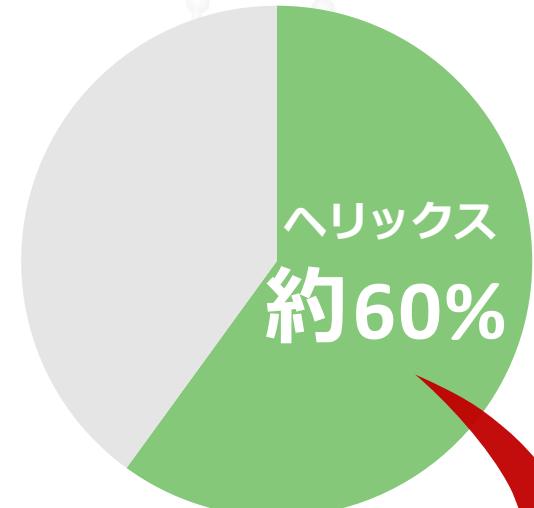
PPIにおいてヘリックス構造は重要な役割を担っている

タンパク質は3種類の二次構造により構成

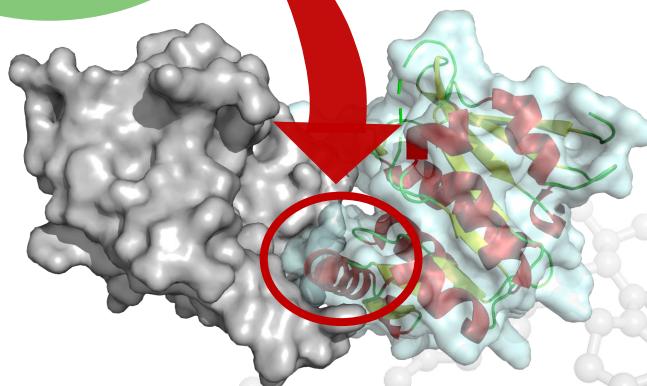


ヘリックスはPPIの結合部位に多くみられる

PPIへの結合関与割合※1



結合界面が
ヘリックス

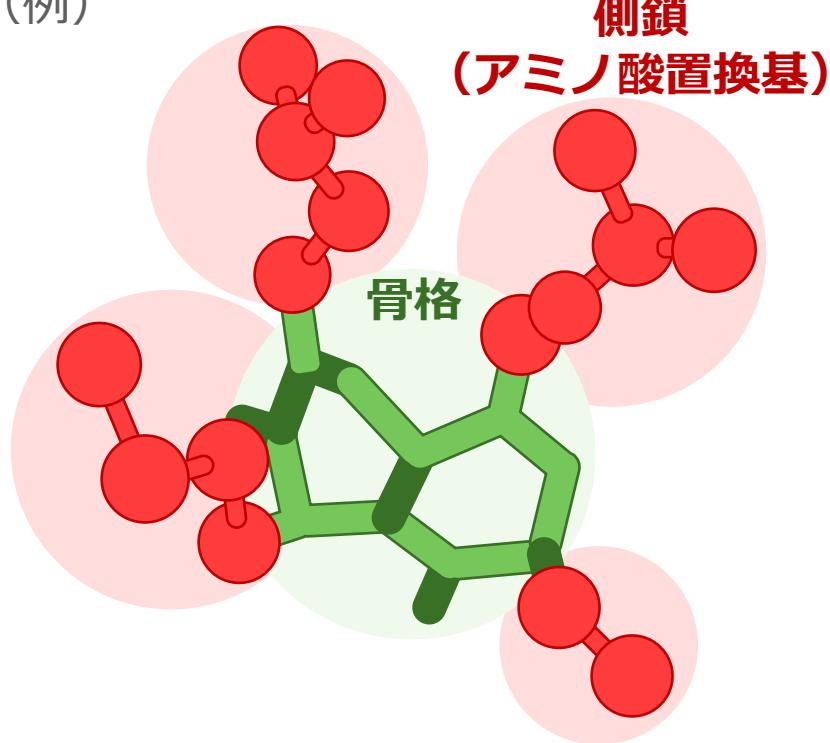


当社のプラットフォーム基盤技術「PepMeticsテクノロジー※」

PepMeticsは初めてヘリックス構造の模倣に成功した新たなPPI制御モダリティ

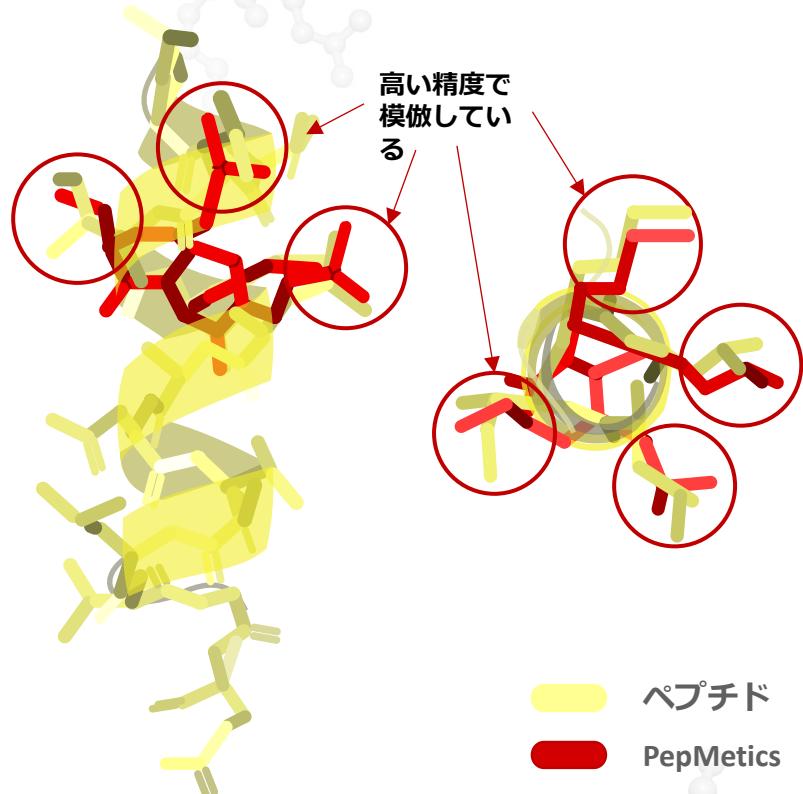
PepMetics化合物の構造

(例)



PepMetics化合物は
構造的にヘリックス構造を模倣する「骨格」と
様々に組み合わせられる「側鎖」で構成

PepMeticsはヘリックス構造を高い精度で模倣



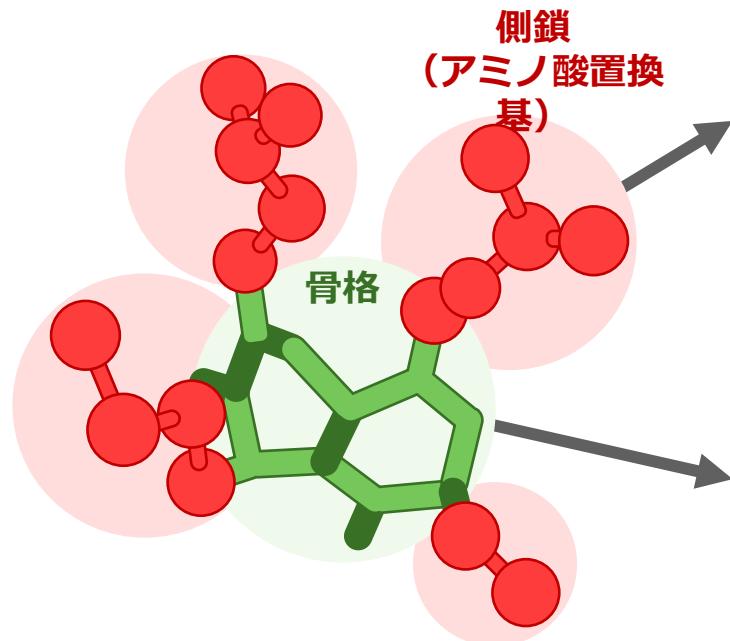
安定構造の骨格により
ヘリックス構造を高い精度で
模倣することが可能

化合物の設計におけるPepMeticsの柔軟性

PepMeticsはターゲットタンパク質に対して柔軟な設計が可能で、様々なヒット化合物の創出や化合物最適化を実現できる

4つ※1のアミノ酸をつなげた

PepMetics化合物



多様なアミノ酸側鎖

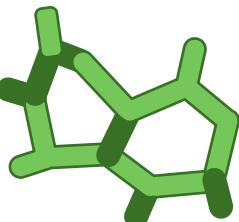


50種類※2～

側鎖位置

3～5ヶ所

様々なヘリックス構造を模倣する骨格



40種類※3～

無数の組み合わせ



ターゲットタンパク質に対する柔軟な設計が可能

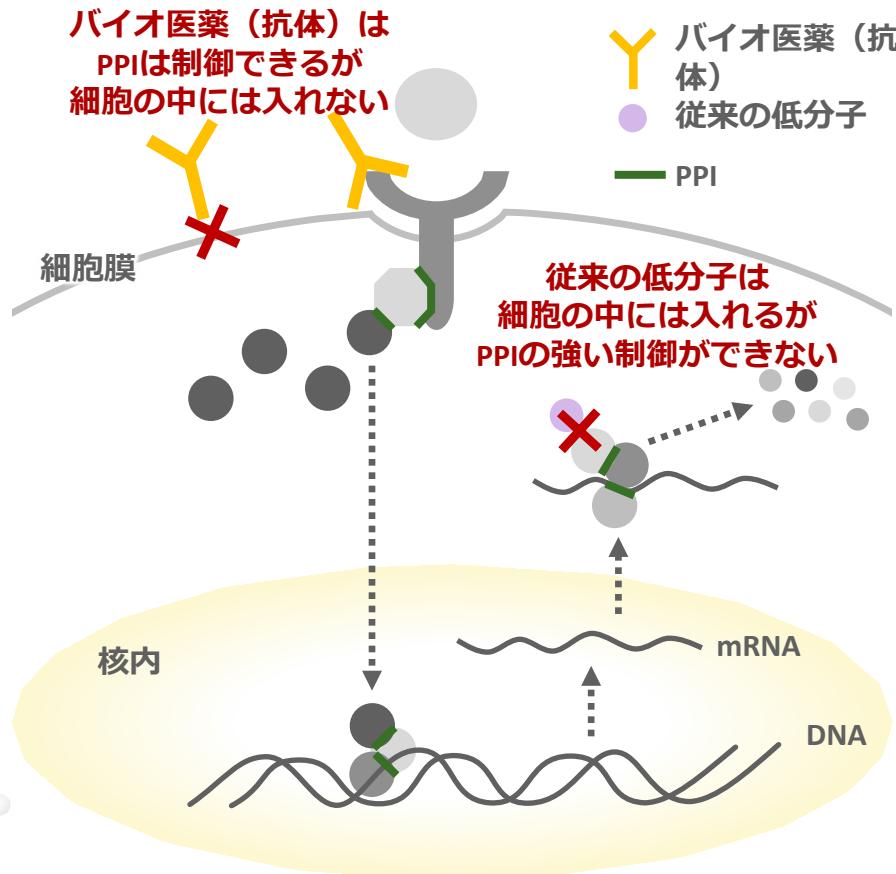
※1 : 3～5個の側鎖をつけることが可能

※2 : 当社のライブラリーでは、天然アミノ酸20種類に加えて約30種類の非天然アミノ酸を使用

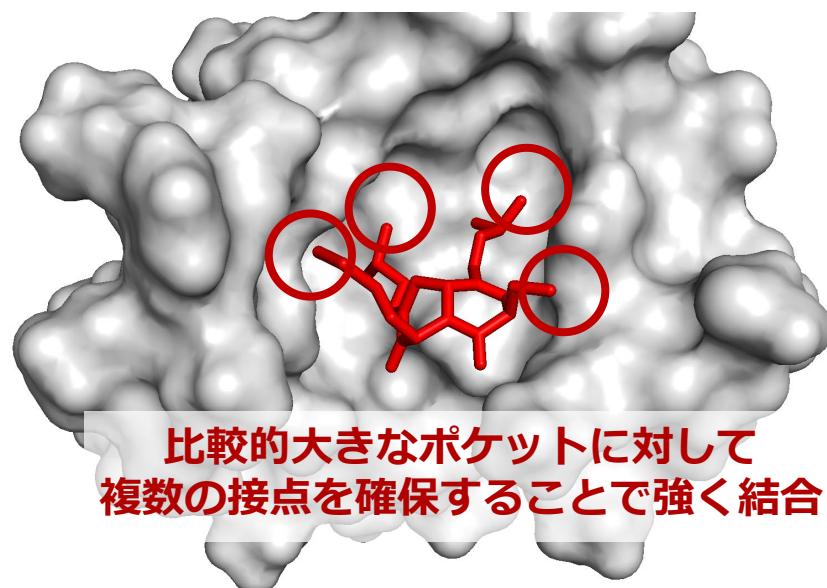
※3 : 当社では、40種類以上の骨格を開発し、使用可能

「細胞内」PPIをターゲットとする創薬の課題

細胞内PPIをターゲットとする創薬では、従来の低分子では十分な阻害作用を発揮できず、バイオ医薬（抗体）では作用部位に到達できないことが課題



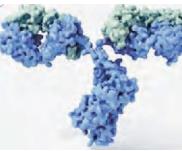
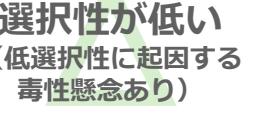
PepMetics



PepMeticsは従来の低分子と同様に細胞の中に入り、かつ従来の低分子以上にPPIを阻害できる

細胞内PPIに対する他モダリティとの比較優位性

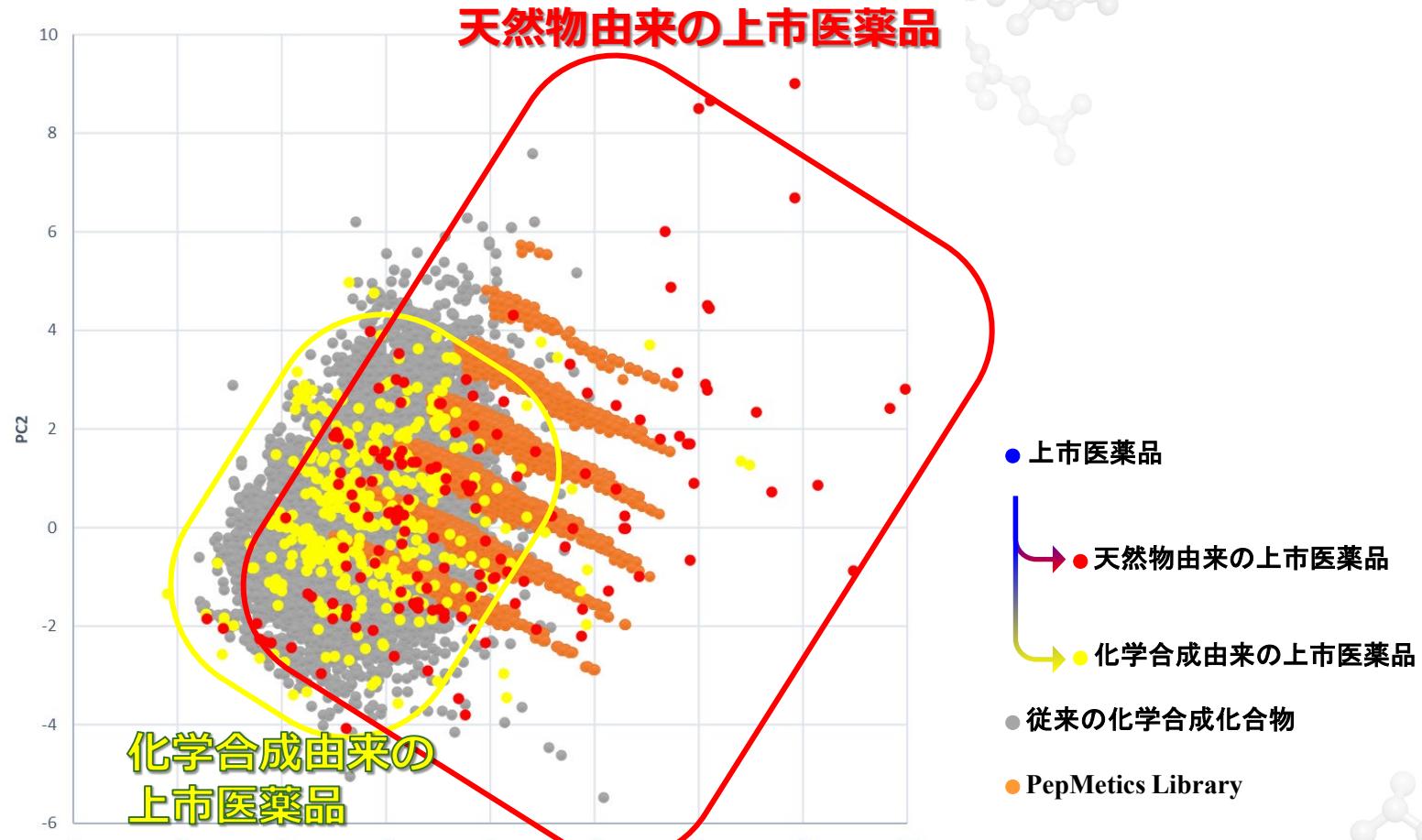
他のモダリティと比較しても「細胞内PPIの制御」というコンセプトにおいて、PepMeticsは画期的な創薬基盤

	細胞内移行性	PPI	選択性	安定性	剤形
 PepMetics					
 抗体					
 ペプチド					
 従来の低分子					

出所 : Caroline et al. Novel Peptide Therapeutic Approaches for Cancer Treatment、A. Chakrabarti Novel avenues to use peptides as cancer drugs. Exploration of the effect of chemical coupling to polymers & cell-penetrating peptides on bioactivity

天然物に類似する構造を有するPepMetics

化学合成では創薬が難しいとされる天然物由来の医薬品に重なる領域をPepMeticsはカバー



PepMeticsは天然物に近い特徴を有しており、従来の合成化合物では創薬不可能とされてきた標的に対して多くのヒット化合物を創出

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



PPPI創薬を推進するビジネスモデル

PPPI創薬技術を基にした、自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

自社開発事業

自社で創薬標的を選定し臨床化合物を開発してライセンス

標的探索 ヒット化合物探索 化合物最適化 非臨床試験 臨床試験 製造・販売



共同開発事業

パートナー（製薬会社）の創薬標的に対し、PepMeticsを活用して臨床化合物を探索してライセンス

標的探索 ヒット化合物探索 化合物最適化 非臨床試験 臨床試験 製造・販売

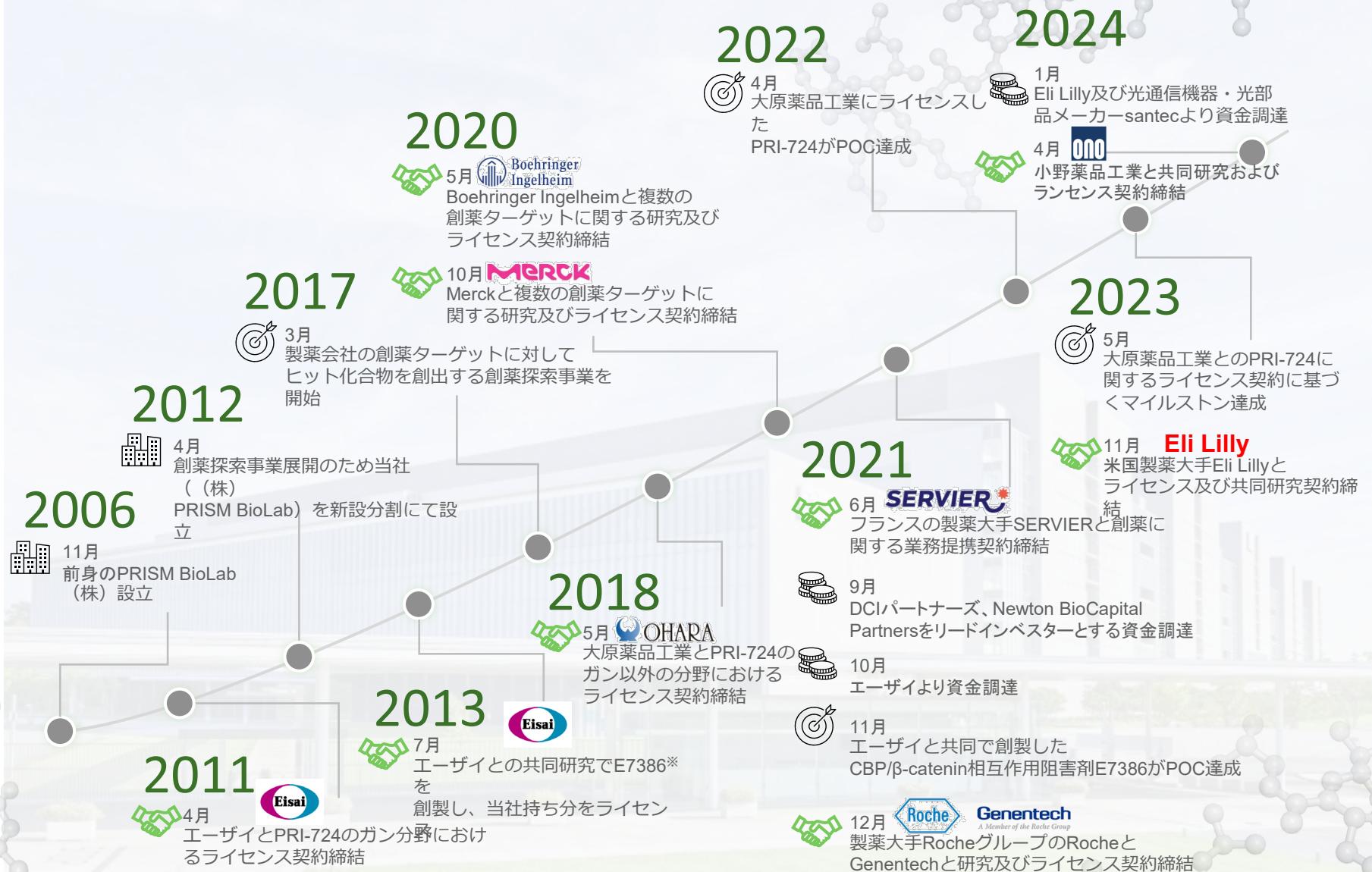


当社の各事業の特徴

ハイブリッドモデルにより安定的かつ大きなリターンを目指す

	開発コスト	契約機会	収益タイミング	収益規模
自社開発事業 先行投資を伴うハイリスク、ハイリターンなビジネスモデル				
ライセンスアウトまでの資金は当社で負担、開発リスクも伴う パートナーの資金で多くのプログラムを並行して進めることが可能	リソース（資金・人）によって並行するプログラム数が限られる	ライセンスアウトまでは収益化は見込めない	ライセンスアウト後の1件の契約総額は大規模になる可能性	
共同開発事業 安定的で早期収益化が可能なビジネスモデル				
当社の資金やリスクはほとんどかからない	パートナーの資金で多くのプログラムを並行して進めることができること	当初から収益化が見込める	自社開発事業と比較すると1件の契約総額は小規模	

自社開発から共同開発への展開



01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報

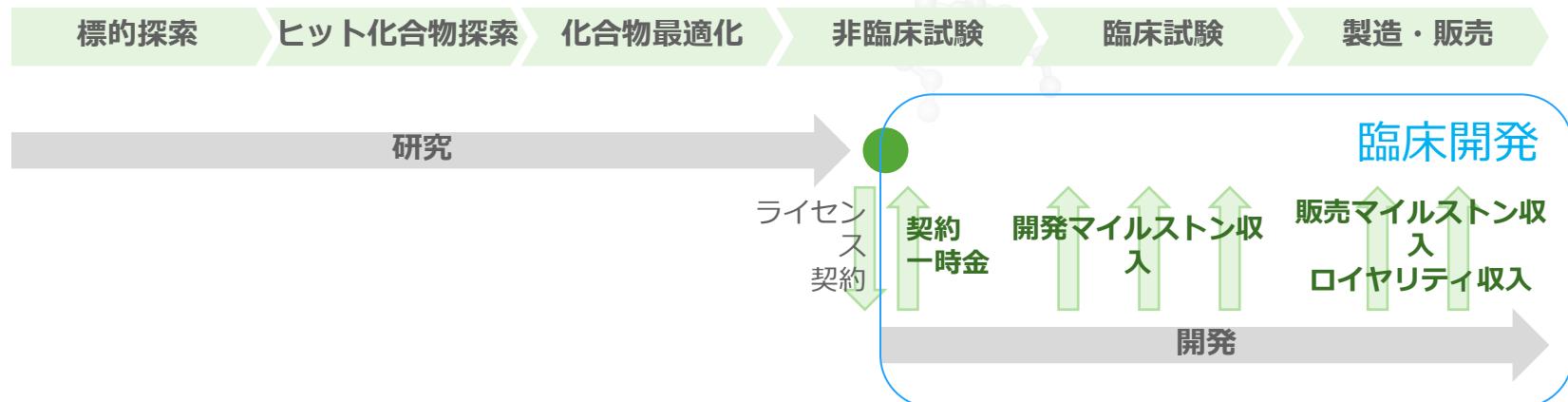


ＰＰＩ創薬を推進するビジネスモデル

PP1創薬技術を基にした、自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

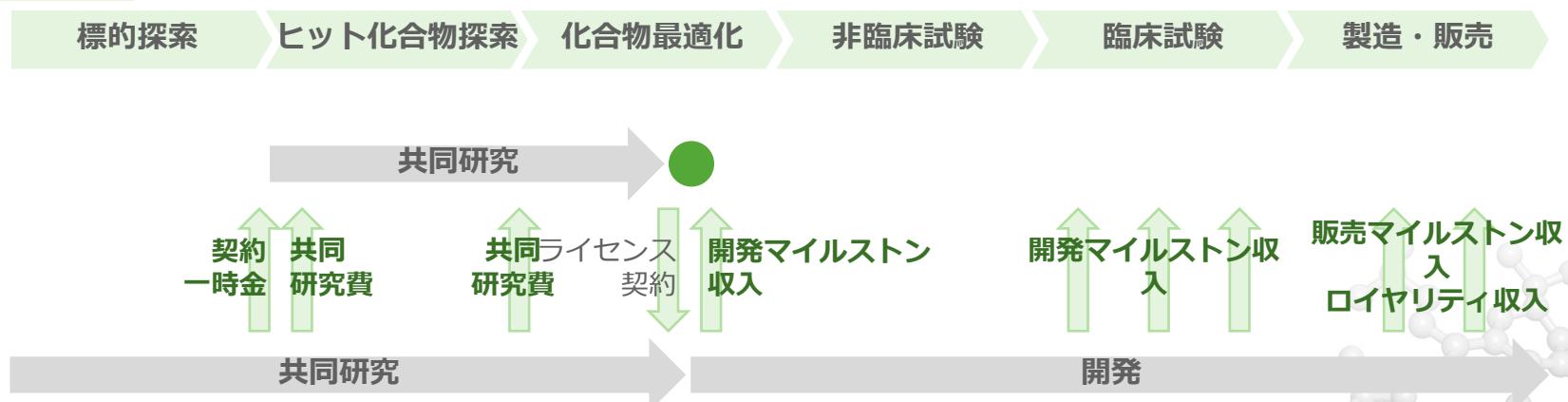
自社開発事業

自社で創薬標的を選定し臨床化合物を開発してライセンス



共同開発事業

パートナー（製薬会社）の創薬標的に対し、PepMeticsを活用して臨床化合物を探索してライセンス



自社開発事業

製薬企業2社に導出し、第Ⅱ相臨床試験を進めている

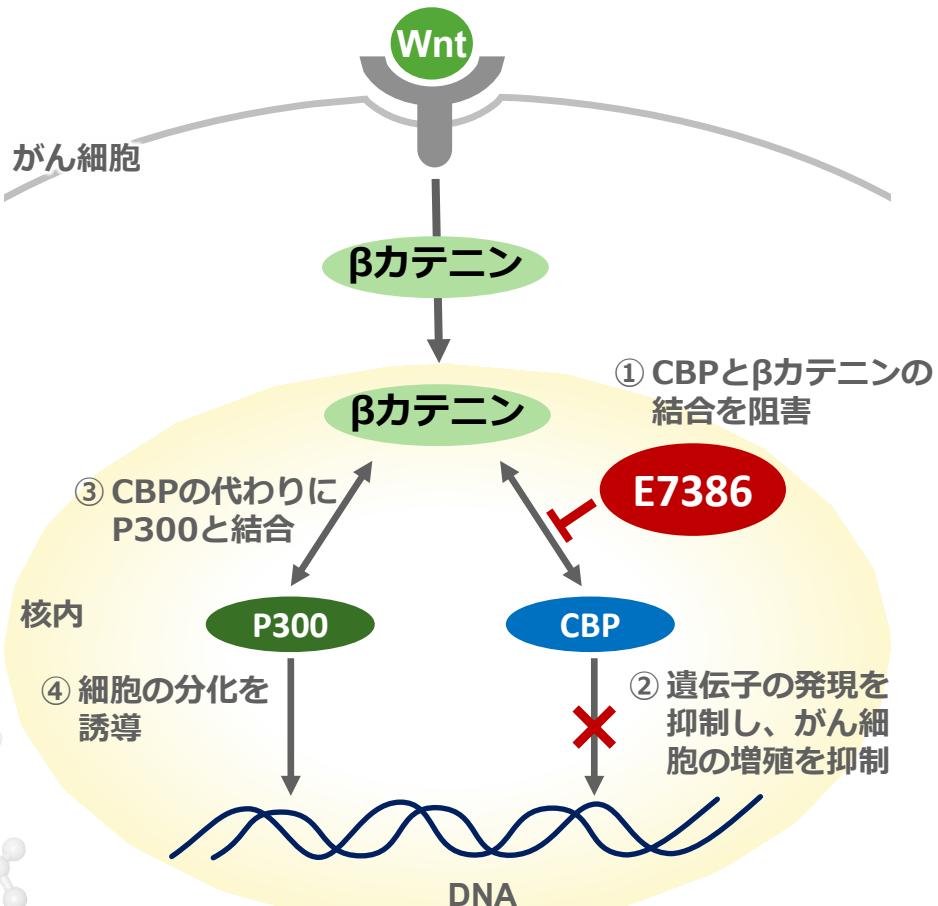
提携先	契約締結年月	経済条件	契約内容及び進捗状況
	2011年4月	<ul style="list-style-type: none">一時金、開発、販売等に対するマイルストン及び研究費を含めて250億円以上ロイヤリティ：非開示	<ul style="list-style-type: none">対象製品に対するライセンス契約共同で創製した中分子化合物であるCREB-binding protein (CBP) /β-catenin (β-カテニン) 相互作用阻害剤 E7386について、2021年11月に臨床におけるPOCを達成エーザイ創製の経口チロシンキナーゼ阻害剤「レンビマ®」との併用の臨床試験では、2025年10月にエーザイが欧州臨床腫瘍学会（ESMO）で発表した後期第Ⅰ相パートの最新の中間解析結果において、子宮内膜がんの患者で高い客観的奏効率と有望な予備的抗腫瘍活性が示された。管理可能な安全性プロファイルとともに、36.7%の全奏効率を示し、以前にレンビマ®投与歴の無い患者においては57.1%の全奏効率であった。エーザイは、子宮内膜がんの患者を対象とした第Ⅱ相パートを進めており、「レンビマ®」との併用による子宮内膜がんに係る適応に関して、2031年3月までの承認取得をめざすと発表
	2018年5月	<ul style="list-style-type: none">非開示	<ul style="list-style-type: none">当社の保有する特許権及び特許を受ける権利について、日本国内の専用実施権を許諾する契約2023年7月より、CBP/β-カテニン阻害薬OP-724のC型・B型肝炎ウイルスまたはMASH※に起因する非代償性肝硬変患者を対象とした第Ⅱ相臨床試験を開始MASHを対象とするコホートでは患者の登録を完了

※MASH：代謝機能障害関連脂肪肝炎、旧名：非アルコール性脂肪肝炎（NASH）

自社開発事業：E7386※1

E7386は第Ib相試験において腫瘍縮小効果を示した

E7386の作用機序

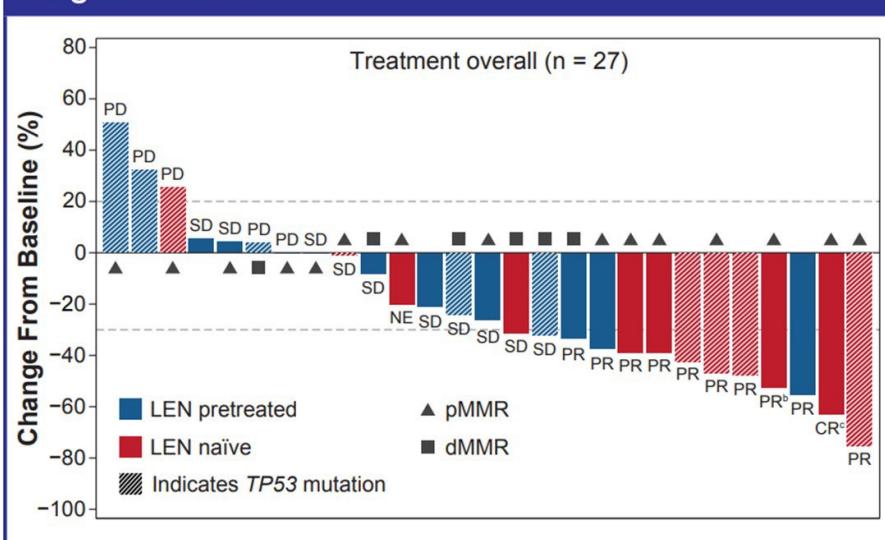


※1:E7386はエーザイと共同創製した化合物

第Ib相試験の臨床試験データ※2

<欧州臨床腫瘍学会(ESMO2025)発表概要> ※用量拡大パート
CBP/β-catenin相互作用阻害剤E7386は、レンビマ[®]※3との併用療法による進行子宮内膜がんを対象とした第Ib相試験において効果を示した。(NCT04008797)。
✓ 計画されていた30名の患者の組み入れが完了し、管理可能な安全性プロファイルが示された。5名の患者への投与は現在進行中である。
✓ データカットオフ2025年6月4日の時点において、RECIST評価基準を用いて36.7%(11人)の全奏効率(腫瘍の大きさが30%以上縮小)を示した。うち、以前にレンビマ[®]投与歴の無い患者においては57.1%の全奏効率であった。

Figure 3. Changes in Sums of Diameters of Target Lesions^a



※2:CR, complete response; dMMR, mismatch repair deficient; MMR, mismatch repair; NE, not evaluable; PD, progressive disease; pMMR, mismatch repair proficient; PR, partial response; SD, stable disease; RECIST, response evaluation criteria in solid tumors.

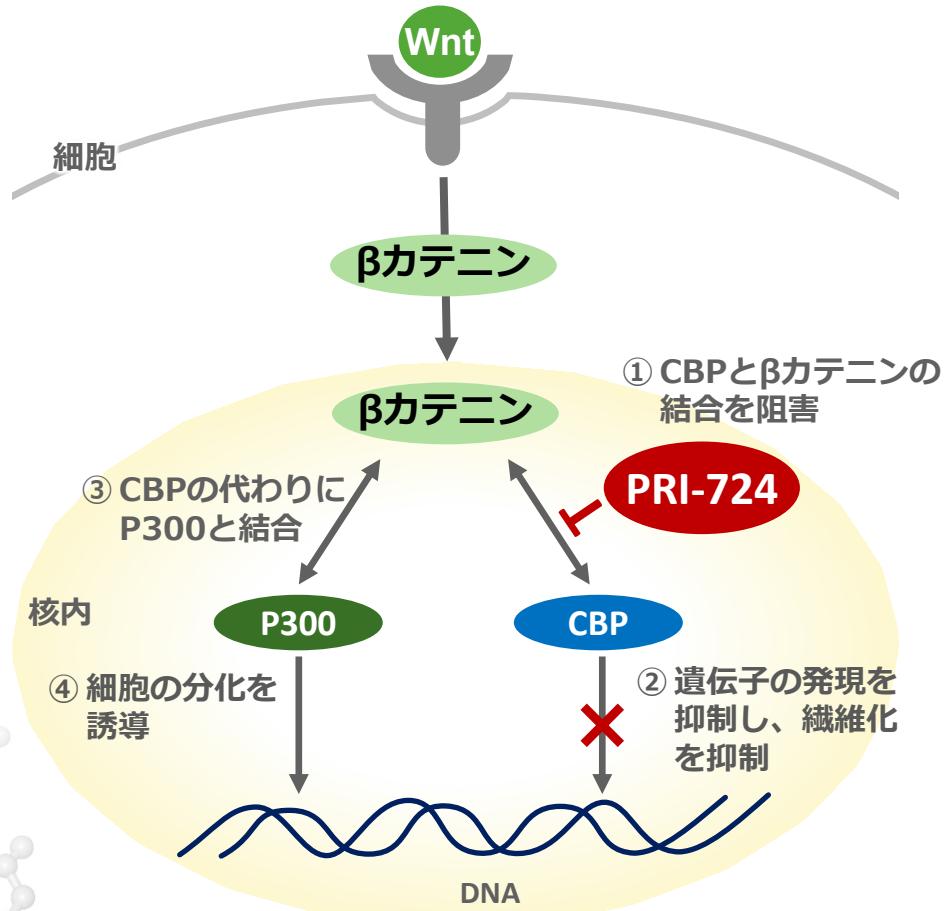
出所: European Society for Medical Oncology (ESMO) 年次総会(ESMO Congress 2025)ポスター発表(2025年10月17日～10月22日)

※3:本剤は、エーザイが創製し、エーザイとMerck & Co., Inc., Rahway, NJ, USA が提携契約のもと、共同開発および共同商業化を行っています

自社開発事業：PRI-724

PRI-724は第I/IIa相試験において肝硬変患者の肝硬度および肝機能を改善した（ヒトPOC達成）

PRI-724の作用機序

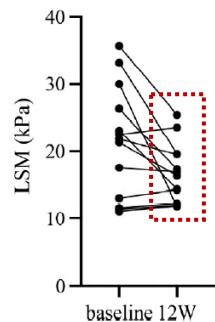


第I/IIa相試験の臨床試験データ

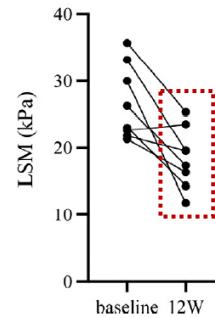
CBP/βカテニン阻害薬PRI-724は、C型またはB型肝炎ウイルスに起因する肝硬変患者を対象とした第I/IIa相試験において、肝硬度および肝機能を改善した（NCT03620474）。

- ✓ PRI-724投与による肝硬度（LSM）：有意な改善が認められた。

投与患者のLSMの変化
(n=13)

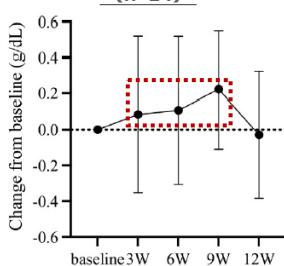


うち、LSM20kPa以上（重度）の患者の変化 (n=8)

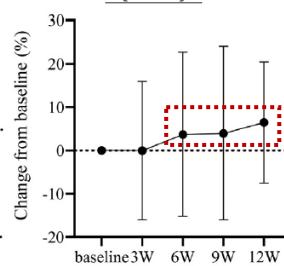


- ✓ PRI-724投与による肝機能：血清アルブミン値、総ビリルビン値及びプロトロンビン時間において、ベースラインに対する改善が認められた。

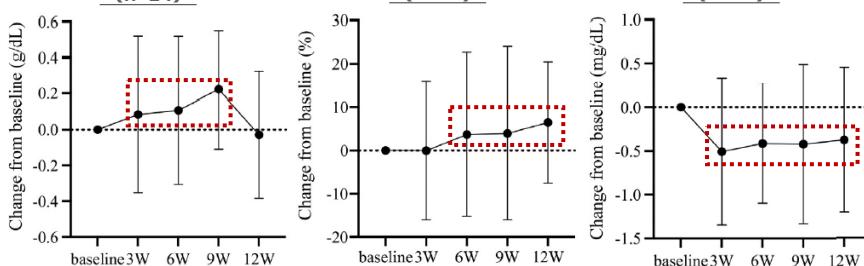
血清アルブミン値
(n=14)



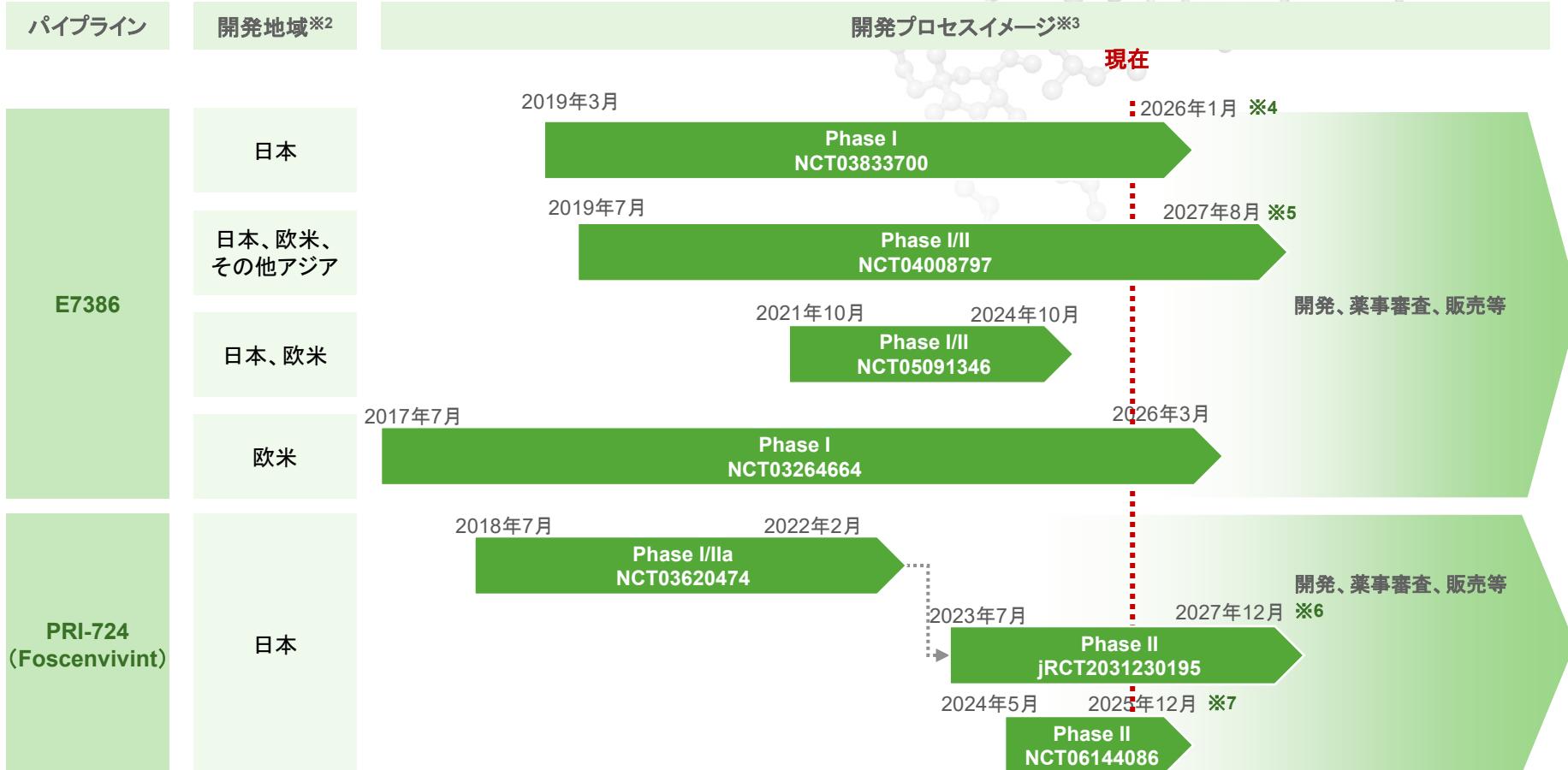
プロトロンビン時間
(n=14)



総ビリルビン値
(n=14)



臨床開発の進捗※1



※1: 開発・販売地域はアライアンス先の開発・販売戦略により異なります。上記情報には、現時点で入手可能な情報に基づく当社の将来予測が含まれており、様々なリスクや不確実性により実際の開発状況が大きく異なる可能性があります。
導出された製品候補については、パートナーが今後の開発および商業化に関する第一義的責任を負います。

※2: 開発地域は当該臨床試験の実施国が属する地域を示しています。情報は2025年8月14日時点のjRCTまたはClinicalTrials.govに基づいており、変更される可能性があります。

※3: 開発プロセスイメージにおける臨床試験期間は2025年8月14日時点のjRCTまたはClinicalTrials.govに基づき、変更される場合があります。臨床試験期間は、当該試験の開始日(予定日)および終了日(予定日)を参照しており、開始日は症例登録開始日(予定日)や被験者登録組入日の開示がある場合はそれらを用いています。

※4: 前回の事業報告及び成長可能性資料の発表以降に、終了日が2025年1月から2026年1月に延期されております。

※5: 前回の事業報告及び成長可能性資料の発表以降に、終了日が2026年11月から2027年8月に延期されております。

※6: 前回の事業報告及び成長可能性資料の発表以降に、終了日が2025年12月から2027年12月に延期されております。

※7: 前回の事業報告及び成長可能性資料の発表以降に、終了日が2025年6月から2025年12月に延期され、現在試験結果を集計しております。

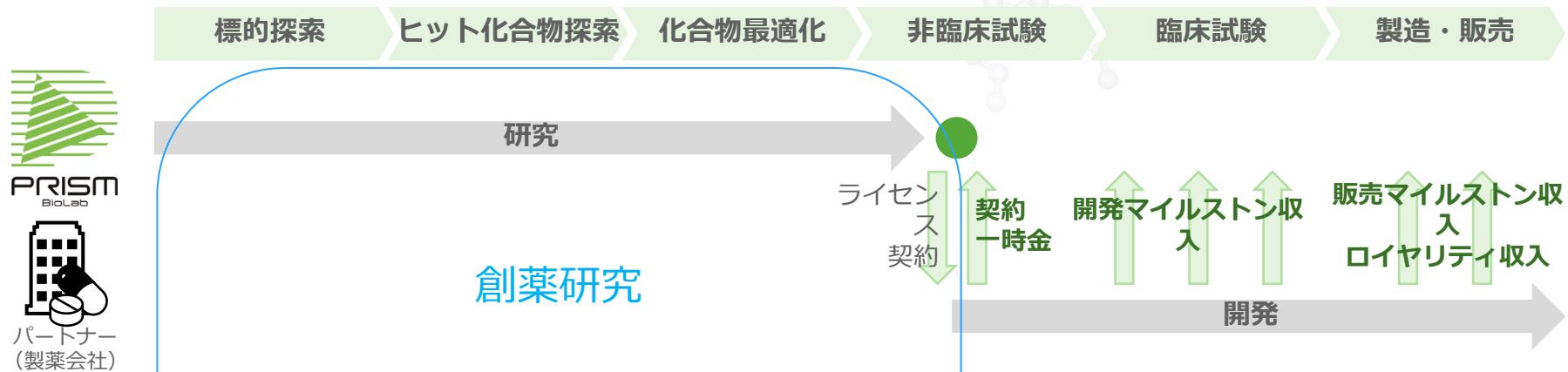
※8: FEP1については、前回の事業報告及び成長可能性資料の発表時から変更はありませんが、臨床開発段階に達していないため、今回表示しておりません。

PP1創薬を推進するビジネスモデル

PP1創薬技術を基にした、自社開発事業と共同開発事業のハイブリッドモデル

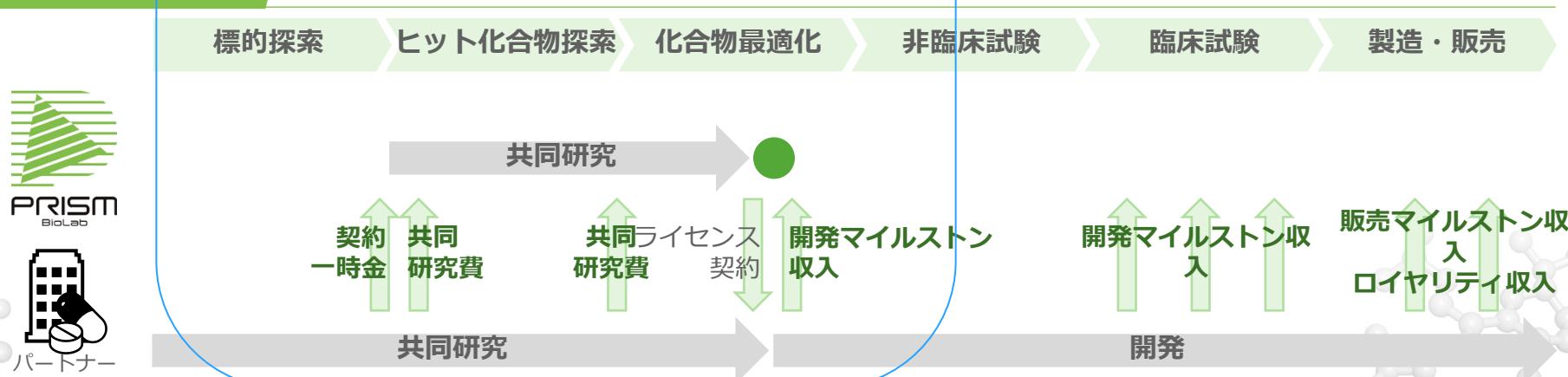
自社開発事業

自社で創薬標的を選定し臨床化合物を開発してライセンス



共同開発事業

パートナー（製薬会社）の創薬標的に対し、PepMeticsを活用して臨床化合物を探索してライセンス



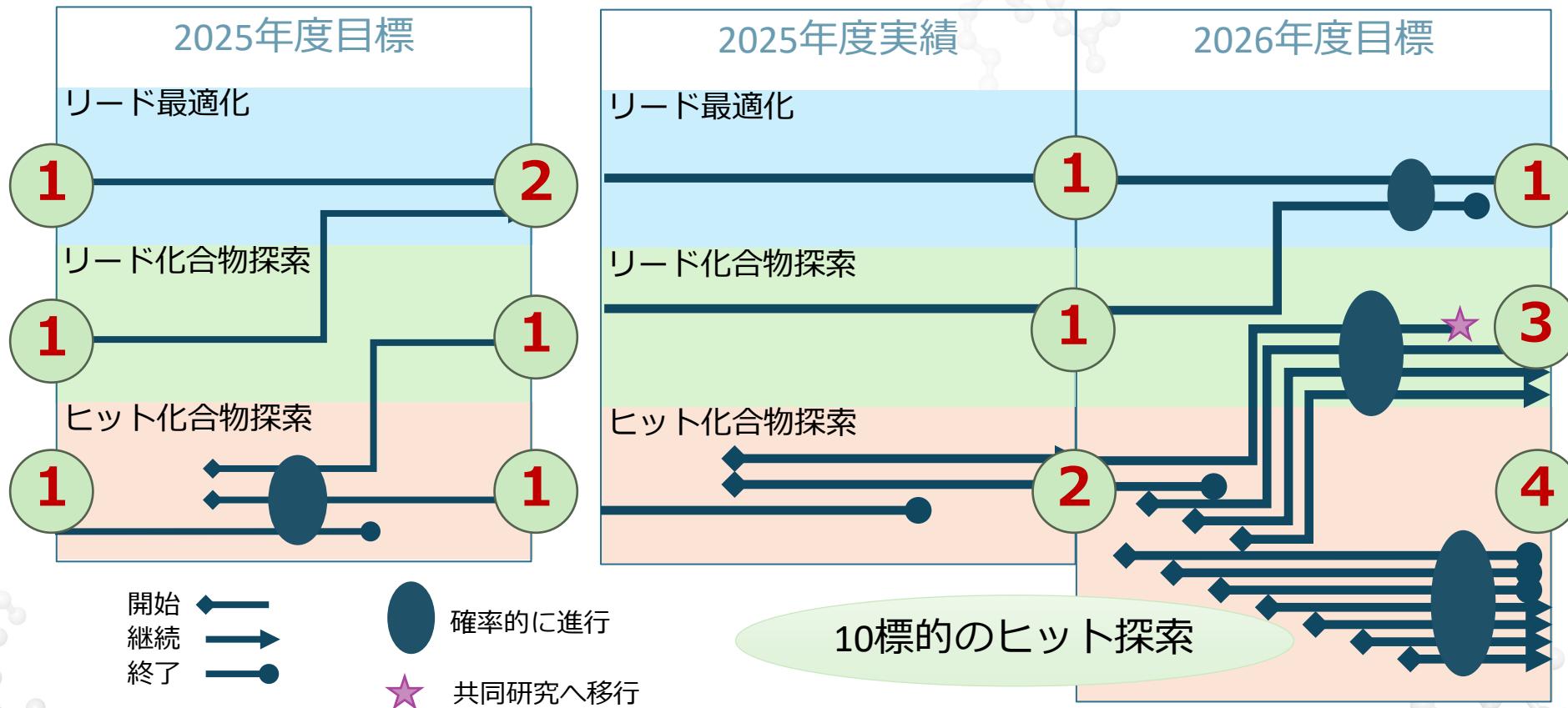
共同開発事業:創薬共同研究

グローバル企業5社と共同研究及びライセンス契約を締結

提携先	契約締結年月	経済条件	契約内容及び進捗状況
	2024年4月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">小野薬品工業のガン領域の創薬標的に対する開発候補化合物を共同開発。小野薬品工業は臨床開発ならびに商業化の権利を得る。
 A Member of the Roche Group	2021年12月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">三社間契約。Roche及びGenentechの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。
	2020年10月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">Merckの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。
	2020年5月	・ 非開示	<ul style="list-style-type: none">Boehringer Ingelheimの創薬標的に対するヒット化合物のスクリーニングのためにPepMeticsライブラリーを提供。ヒットした化合物に対してライセンス許諾。

※当業年度において、Eli Lilly and Company及びLES LABORATOIRES SERVIERとの契約が終了しております。Lillyとは2023年11月17日付で「共同研究及び導出契約」を締結し、Lillyの創薬標的に対して当社とLillyが開発候補化合物を探査する共同研究事業を進めてまいりました。両社で共同研究に注力し、一定の成果が得られておりましたが、Lillyより、2025年7月24日付の契約の終了に関する通知を受領したことから、当該契約の規定に基づき、2025年9月22日付で当該契約を終了しました。また、SERVIERとは、2021年6月3日付で「共同研究・ライセンスオプション契約」を締結し、SERVIERが提示する創薬標的に対して両社間で共同研究事業を進めてまいりました。当該プロジェクトにおいて高度な成果が得られておりましたが、両社間で協議を行った結果、双方の合意により当該プロジェクトを発展的に解消することを決定し、2025年10月3日付で当該契約を終了しました。

プログラムの進捗：自社開発



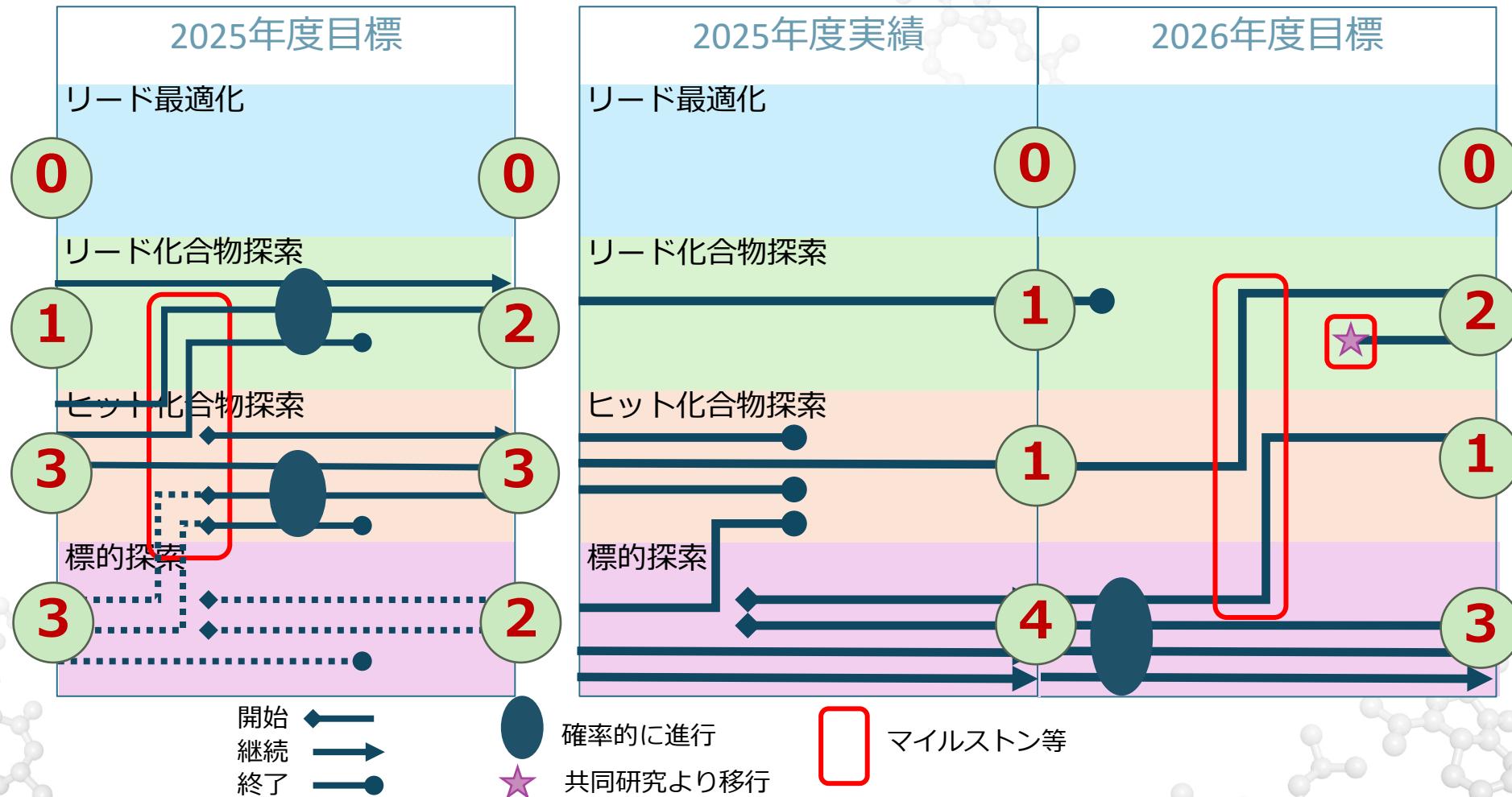
※1: 当ページの図において、プログラムの開始、継続、終了の年度内での発生を表現していますが、その位置（左右）は年度内での時期を示すものではありません。

※2: 2025年度目標に対し、2025年度実績はリード最適化プログラムが△1、ヒット化合物探索プログラムが+1となっています。

これはリード化合物探索及びヒット化合物探索が長期化し、次プログラムへの進捗が2026年度にずれ込んだこと等によるものです。

Not for distribution without PRISM permission.

プログラムの進捗：共同開発



※1:当ページの図において、プログラムの開始、継続、終了の年度内での発生を表現していますが、その位置（左右）は年度内での時期を示すものではありません。

※2:2025年度目標に対し、2025年度実績はリード化合物探索プログラムが△1、ヒット化合物探索プログラムが△2、標的探索が+4となっております。

これは2社との共同開発契約が終了した他、各探索が長期化し、次プログラムへの進捗が2026年度にずれ込んだこと等によるものです。

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



創薬基盤ベンチャー ⇒ PPIの総合的先端技術をリードする創薬企業

2006年～

化合物の創薬基盤を構築

2022年～

薬理評価の内製化

2024年～

創薬探索機能を網羅

2025年～

探索規模拡大と高度化

2026年以降

自動化による探索効率の飛躍的向上

化学技術基盤
PepMetics新規合成ルート

薬理評価技術
精製タンパク質PPI評価
細胞内PPI評価
複合タンパク質PPI評価

ライブラリー構築
ペプチド模倣骨格(PepMetics)

構造分析技術
PepMetics結合構造解析
PepMetics親和性予測
Pepmetics分子力場解析

AI技術
PepMetics物性予測
PepMetics活性予測
新規PepMetics生成

HTS技術
(高速評価)
PepMeticsライブラリー社内評価

自動合成技術
PepMetics自動精製
PepMetics自動合成

PP I 創薬を加速する 2 つの戦略

ヒット創出 プログラム

年間 10 の H T S を実施

ヒット化合物を基に共同
研究を進める

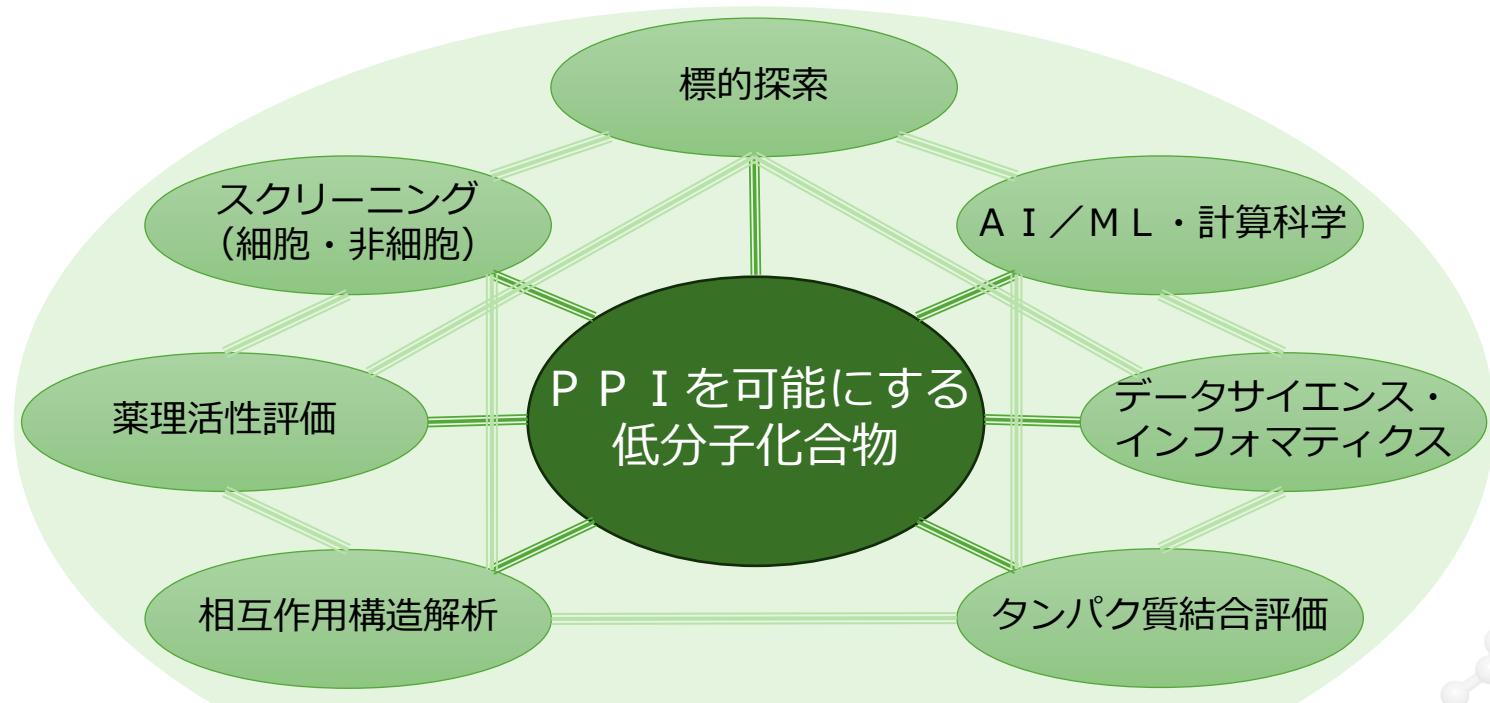
創薬バイオテックと 共同開発

シナジーのある技術で新
たな標的と Hit を創出

PP I 創薬に有効な技術
を PRISM 中心に集約

PP-I創薬コンソーシアム構想を始動

- ◎ PP-I 創薬を促進する卓越した技術を持つベンチャーと連携
- ◎ 各社の技術を融合させ、 PP-I 創薬の飛躍的進展を目指す



創薬業界のパラダイムシフト

創薬はこれまで数々の技術革新により進化してきた

19世紀

20世紀

21世紀

天然物：植物、ハーブ、漢方等

1806年：有効成分の単離（モルヒネ）

1897年：低分子化合物の合成（アスピリン）

1982年：タンパク質医薬（インスリン、造血因子）

これらのパラダイムシフトを作り上げた
バイオテックは大きな成長を遂げている

Genentech

AMGEN

Biogen

moderna

BIONTECH

1997年：抗体医薬（リツキシマブ）

2001年：分子標的キナーゼ阻害剤（イマチニブ）

2011年：免疫チェックポイント阻害剤
(イピリュマブ、ニボルマブ)

2020年：mRNA (COVID-19ワクチン)



低分子による細胞内PPI※制御
(PPI : タンパク質間相互作用)

※PPI (Protein-Protein Interaction) : 複数のタンパク質分子が状態に応じて特異的複合体を形成する現象。

PPI標的が制御できれば、膨大な未開拓領域へのアプローチとなる

キナーゼ阻害剤より潜在的に大きな市場が見込まれる

	キナーゼ阻害剤	細胞内PPI阻害剤
体内の種類	> 500種類 (Including Pseudo)	タンパク質:20,000種類 PPI:650,000種類※2
対象医薬品数	85※1 (2025年3月時点)	3※3 (2025年12月時点)
阻害機序	Phosphorylation(リン酸化)	Transcription(転写)、 Translation(翻訳)、 Signal transduction(シグナル伝達)、 Phosphorylation(リン酸化)等多数
適応症	ガン (キナーゼ選択性により、主にガン)	適応症に限定なし
最初の承認薬	グリベック(2001年承認)	ベネトクラクス(2016年承認)※5
市場規模	463億米ドル(2024年)※4 (売り上げトップ10承認薬の合計)	-

出所:※1: Robert Roskoski Jr Properties of FDA-approved small molecule protein kinase inhibitors: A 2025 update (DOI.org/10.1016/j.phrs.2025.107723)

各疾患有症患者数

パイプライン	適応症	有症患者数(人)	標的依存的 有症率	標的依存的 有症患者数(人)	類似薬売上高 (百万米ドル)
E7386※1	子宮内膜ガン	126,562※2	32%※5	40,500	492※8 (Lenvima® in 2025から換算)
	大腸ガン	2,021,322※3	53%※5	1,071,301	1,518※9 (Avastin in 2019)
PRI-724	肝硬変	108,000※4	28%※6	29,889	アンメットメディカル ニーズのため 類似薬無し
FEP	大腸ガン	2,021,322※3	61%※5	1,233,006	1,518※9 (Avastin in 2019)
	トリプルネガティブ 乳ガン	300,188※3	42%※5※7	126,079	622※9 (Trodelvy in 2023)

各疾患の標的依存的有症患者数と標的依存的有症率を当社にて試算

※1:E7386はエーザイ社と共同創製した化合物

※2:World Cancer Research Fund, Endometrial cancer statistics (<https://www.wcrf.org/preventing-cancer/cancer-statistics/endometrial-cancer-statistics/>)を参照。2022年、New cases 、US/4EU/Japanの数値を記載

※3:Datamonitor Healthcareを参照。各適応症について、2022年、prevalence 5 year、US/5EU/Japanの数値を記載

※4:e-Stat 患者調査令和2年患者調査確定数全国編報告書を参照。「11消化器系の疾患(肝硬変(アルコール性のものを除く))」の数値を記載

※5:COSMIC(Catalogue Of Somatic Mutations In Cancer)を参照。子宮内膜ガンにおけるAPC変異・CTNNB1変異、大腸ガンにおけるAPC変異・CTNNB1変異、大腸ガンにおけるKRAS変異・BRAF変異・PIK3CA変異・eIF4E変異、トリプルネガティブ乳ガンにおけるPIK3CA変異の数値を記載

※6:響文社「我が国における非B非C肝硬変の実態調査2011」を参照。有症患者数に対して、B型・C型・NASHを発症しChild-Pugh class BもしくはChild-Pugh class Cに該当する患者数の割合を記載

※7:Anthony Flowers et al. Eukaryotic initiation factor 4E overexpression in triple-negative breast cancer predicts a worse outcome (DOI: 10.1016/j.surg.2009.05.010)を参照。※3の数値に、トリプルネガティブ乳ガン患者のうちeIF4Eの過剰発現度合いが「high」と判定された患者数の割合を合算

※8:Eisai, Q2 FY2025 Financial Results and Business Update参照。Lenvima半年分の1H FY2025 36.9 billion yenを2倍し、1ドル150円で換算

※9:Datamonitor Healthcareを参照。2017年から2023年における各年のUS/5EU/Japanでの最大売上高を記載

資金使途

以下の項目および使途にIPOにおいて調達した資金を充当し、ヒット化合物創出と、導出可能性の拡大を目指す

資金使途	充当額	支出時期（千円）		
		2024年9月期 (実績)	2025年9月期 (実績)	2026年9月期 (予定)
<ul style="list-style-type: none">新たな自社開発プログラムの立ち上げ創薬標的への初期化合物（Hit化合物）を見つけるための創薬基盤の多様化PepMetics化合物の集積データを活用したAIによる活性予測機能の開発	1,482,695	154,105	567,134	761,456
<ul style="list-style-type: none">生物評価系設備、化学設備の購入により、作業期間の短縮、精度向上を実現	308,225	216,784	82,978	8,463

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



2025年9月期通期 ハイライト

臨床試験：エーザイのE7386^{※1}の進捗

- 2024年9月：ESMO（欧州臨床腫瘍学会）年次総会においてエーザイが発表
- 2024年10月：第Ⅱ相試験にあたる用量最適化コホートが開始
- 2025年5月：エーザイが米国臨床腫瘍学会（ASCO）年次総会にて臨床試験結果を発表
- 2025年10月：エーザイが欧州臨床腫瘍学会（ESMO）年次総会にて臨床試験結果とバイオマーカー探索結果発表

共同研究の進展

- 契約の終了
 - Eli Lillyとの契約が9月に終了
 - Servierとの契約が10月に終了
- マイルストン達成
 - 2025年11月：小野薬品との創薬提携において初回マイルストンを達成、一時金を受領することが確定

2025年9月期通期 ハイライト

創薬基盤の強化

- ライブラリースクリーニング（HTS：High Throughput Screening）開始
- 分子間相互作用測定機能：SPR、結晶構造解析
- 2025年4月：AI創薬のElixirと業務提携

知財の拡大

- 2025年6月：PepMetics®技術ライブラリー化合物特許取得
- 2025年10月：PepMetics®化合物の新規二環性化合物の特許取得

2025年9月期 通期損益状況

単位：百万円

科目名	2024年 9月期	2025年 9月期	増減
売上高	305	677	+371
売上総利益	160	269	+109
販売費及び一般管理費	942	1,044	+101
営業損失	△782	△774	+7
営業外収益	0	26	+26
営業外費用	49	0	△49
経常損失	△831	△748	+83
特別損失	216	82	△133
当期純損失	△1,049	△833	+215

Lilly、小野薬品

研究開発強化

研究開発設備投資

2025年9月期 通期財政状況

単位：百万円

科目名	2024年 9月期	2025年 9月期	増減
流動資産	4,483	3,038	△1,444
うち現金及び預金	4,392	2,915	△1,476
固定資産	45	46	+1
資産合計	4,528	3,085	△1,442
流動負債	1,019	370	△649
うち契約負債	900	236	△663
固定負債	5	6	+0
負債合計	1,025	376	△648
純資産合計	3,502	2,708	△794
負債純資産合計	4,528	3,085	△1,442

Lilly契約終了および
小野薬品の共同研
究進捗に伴う前受
金の売上計上

2025年9月期 通期キャッシュフローの状況

単位：百万円

科目名	2024年 9月期	2025年 9月期	増減
営業活動によるキャッシュ・フロー	150	△ 1,468	△ 1,618
税引前当期純損失	△ 1,048	△ 831	+ 216
契約負債の増減額(△は減少)	886	△ 663	△ 1,550
減損損失	216	82	△ 133
その他	94	△ 56	△ 151
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 244	△ 69	+ 175
財務活動によるキャッシュ・フロー	3,370	33	△ 3,336
現金及び現金同等物に係る換算差額	△ 17	27	+ 45
現金及び現金同等物の増減額	3,258	△ 1,476	△ 4,734
現金及び現金同等物の期首残高	1,133	4,392	+ 3,259
現金及び現金同等物の期末残高	4,392	2,915	△ 1,476

01 会社概要

02 創薬基盤：PepMetics技術

03 ビジネスモデル

04 進捗する臨床開発と創薬研究

05 創薬基盤の強化と今後の展望

06 2025年度業績と財務状況

07 リスク情報



リスク情報

項目	主要リスク	リスクの概要	当社の対応方針
事業環境に由来するリスク	新薬開発の不確実性について 発生可能性:中 影響度:大	<p>一般的に医薬品開発は研究開始から承認まで長期間を要し、多額の研究開発投資が必要になりますが、他産業と比較して製品化の成功確率が著しく低い状況にあります。</p> <p>医薬品候補化合物は、有効性や安全性の観点から開発の延長や中止をする可能性があります。また、臨床試験で良い結果が得られた場合であっても、各国における薬事関連法規等の厳格な法規制等の適用のもとで審査を受けることが必要であり、製品開発中に施行される承認審査基準の変更により、承認が得られない可能性があります。</p> <p>開発の不確実性による新薬開発の遅延により研究開発の期間が延長された場合には、追加の研究開発投資が必要になるほか、上市後の特許権の満了までの期間が短くなることにより将来に期待していた収益が得られない可能性があります。また、研究開発を中止した場合は、それまでに投資した資金を回収できなくなることになります。</p>	当該リスクに対しては医薬品の開発や事業化について経験を有する人材を社内外に確保し研究開発を推進する体制の構築に努めております。その一環として、新薬の研究及び臨床開発の分野で豊富な経験を有するメンバーで構成したScientific Advisory Boardを組織し、助言を受けております。また、臨床試験の計画・実施に当たっては規制当局との事前相談等を通じて適切な助言を得て開発を推進して参ります。
事業内容に由来するリスク	他社とのアライアンスにおけるリスク 発生可能性:中 影響度:中	<p>当社は、新薬候補化合物を大手製薬会社等に導出し、導出先が販売促進活動し、マイルストン収入及びロイヤリティ収入を得るのが基本的ビジネスモデルです。共同開発事業についてはエーザイ、大原薬品との間でそれぞれ導出に関する契約を締結しております(後述の「5 重要な契約等」をご参照ください。)。既に導出を行った新薬候補化合物の臨床試験を実施中ですが、これらの試験結果が望ましくない場合や提携企業との良好な協力関係が保たれなくなつた場合、当初予定していた売上高が減少し将来に期待していた収益が得られない可能性があります。また、製品買収や製品・開発品の導入等に伴う不確実性により、将来に期待していた収益が得られない可能性があります。</p>	当該リスクに対しては、新規提携先の拡充に向け複数の候補先と定期的なコミュニケーションの実施に努めています。

リスク情報

項目	主要リスク	リスクの概要	当社の対応方針
財務リスク	資金繰りについて 発生可能性:中 影響度:中	<p>当社の創薬基盤の拡張・維持や自社開発事業は、多額の研究開発費用を必要とし、今後一定期間にわたって先行投資の期間が続きます。この期間においては、継続的に営業損失を計上し、営業活動によるキャッシュ・フローはマイナスとなる傾向があります。これまで特定の事業年度を除くと営業キャッシュ・フローのマイナスが続いており、現状では共同開発事業からの収益に対して自社開発事業への投資並びに管理部門等の間接経費が上回っている状況です。</p> <p>このため、安定的な収益源が先行投資を上回るまでの期間においては、研究開発の進捗等に応じて適切な時期に資金調達等を実施して財務基盤の強化を図る方針ですが、必要なタイミング又は適切な条件で資金を確保できなかつた場合は、当社事業の継続に重大な懸念が生じる、又は株主の保有する権利に影響を及ぼす可能性があります。</p>	当該リスクに対しては、自社開発事業への先行投資の調整や早期の資金調達の実施に注力すると共に、金融機関からの融資、コミットメントラインなどの調達方法の多様化を検討して参ります。
事業内容に由来するリスク	小規模組織及び少数の事業推進者への依存 発生可能性:小 影響度:中	<p>当社は、当事業年度末において従業員50名未満の小規模体制となっております。今後、業務拡大に応じて採用、経理人材の採用を通じて内部管理体制の拡充を図る方針です。</p> <p>また、当社の代表取締役竹原大、取締役研究開発部長朴熙万をはじめとする現在の経営陣、研究開発活動を推進する各部門責任者及び少数の開発担当者はそれぞれが高度かつ専門的な業務に従事しており、当社の事業活動はかかる少数の主要な人材に強く依存するところがあります。そのため、常に優秀な人材の確保と育成に努めておりますが、人材確保及び育成が順調に進まない場合、並びに人材の流出が生じた場合には、当社の事業活動に支障が生じ、当社の業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。</p>	当社は、当社の理念の浸透を図ると共に、専門分野毎の縦割り型ではなく、経営陣並びに従業員が自由闊達に議論を交わせるような組織づくりを通じ、やりがいを感じることができる風土を醸成すると共に、新規採用も含め社内体制の強化を進めて参ります。

※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、有価証券届出書の「事業等のリスク」をご参照下さい。