

|| 企業調査レポート ||

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2024年11月19日(火)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<https://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. 開発パイプラインの状況	01
2. 業績動向	01
3. 今後の事業方針	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業概要	04
■ 開発パイプライン	08
1. CLX-712 (CLK 阻害薬)	08
2. MALT1 阻害薬	12
3. その他パイプライン	14
■ 業績動向	14
1. 2024年8月期の業績概要	14
2. 2025年8月期の業績見通し	15
3. 財務状況	16
4. 今後の事業方針	17

■ 要約

ブロックバスター候補になりうる抗がん薬の開発を進める バイオベンチャー

Chordia Therapeutics<190A> は、武田薬品工業 <4502> からスピンアウトした創薬研究者が創業したバイオベンチャーで、低分子化合物の抗がん薬に特化した開発を行っている。探索研究から臨床研究までをコアビジネスとし、国内では提携戦略により製造・販売まで自社で行い、海外ではライセンスアウトすることで早期収益化を目指している。2024年6月に東京証券取引所グロース市場に株式上場した。

1. 開発パイプラインの状況

現在の開発パイプラインは5つあり、このうちリードパイプラインである CLK 阻害薬 CTX-712（以下、CTX-712）は血液がん（2次治療以降の急性骨髄性白血病（AML））を対象とした第1/2相臨床試験を米国で実施している（現在は第1相パート）。mRNA^{*}生成過程において過剰なストレスを与えることによってがん細胞を死滅させる新しい作用機序の低分子化合物であり、日本で実施した第1相臨床試験では既に承認申請している治療薬と同水準の安全性及び有効性が確認されている。同社は2024年内に米国でオーファンドラッグ申請を行い、2025年後半に第1相パートの中間成績を発表できる見通しだ。第2相パートは米国と日本で実施し、順調に進めば2026年末に臨床試験データを取得し、2026～2028年に迅速承認制度を活用して販売承認申請を目指す。2次治療以降のAML治療薬の潜在市場規模は2,000～4,000億円と同社では試算しており、同適応症で開発に成功すればAML1次治療やその他のがん種へと適応拡大を進め、製品価値の最大化を図る。

^{*} RNA (Ribonucleic acid) はリボ核酸の略で、遺伝子であるDNAからタンパク質を生成するために必要な物質。ゲノムDNAから転写されたメッセンジャーRNA (mRNA)、タンパク質合成時に利用されるトランスファーRNA (tRNA) などがある

2. 業績動向

2024年8月期の業績は、事業収益の計上がなく（前期はMALT1阻害薬CTX-177のライセンス供与先である小野薬品工業<4528>からのマイルストーン収入2,500百万円を計上）、経常損失は1,824百万円（前期は225百万円の利益）となった。2025年8月期も現時点では事業収益の計上を見込んでおらず、経常損失はCTX-712の臨床試験費用増加により2,378百万円と拡大する見通しだ。2024年8月末時点の現金及び預金は4,329百万円と2年近い事業活動資金を保有しているが、当面は先行投資が続くため開発資金が必要になれば株式市場から調達していくことになる。同社では少なくとも1年分の事業活動資金を確保しておきたい意向を持っている。

要約

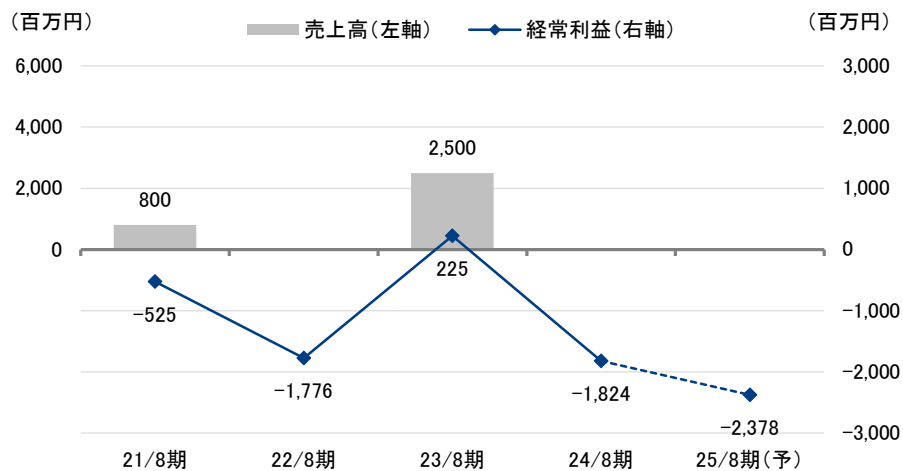
3. 今後の事業方針

同社は「日本発の研究開発型の製薬会社になる」ことを2030年ビジョンとして掲げている。医薬品製造に関してはシオノギファーマ(株)と、国内における流通・販促活動についてはメディカルホールディングス<7459>と2022年に業務提携の基本合意を締結するなど体制整備を進めている。海外市場はライセンスアウトにより早期収益化を目指す戦略で2020年に小野薬品工業に導出したCTX-177は、現在米国で再発・難治性リンパ腫を対象とした第1相臨床試験が行われている。残り3つのパイプラインについても臨床試験前段階での早期導出も検討し、当面はCTX-712の開発にリソースを集中することで早期収益化を目指す考えだ。

Key Points

- ・ 武田薬品工業からスピンアウトし、低分子化合物の抗がん薬に特化した開発を進める
- ・ CTX-712は2次治療以降の急性骨髄性白血病を対象とした臨床試験を米国で実施中、2026～2028年頃の販売承認申請を目指す
- ・ MALT1阻害薬は小野薬品工業に最大500億円超の条件で導出済み
- ・ CTX-712の価値最大化に向けリソースを集中投下し、早期収益化を目指す

業績推移



出所：決算短信、会社ホームページよりフィスコ作成

■ 会社概要

武田薬品工業からスピンアウトし、 低分子化合物の抗がん薬に特化した開発を進める

1. 会社沿革

同社は、武田薬品工業で低分子化合物の抗がん薬開発を行っていた創薬研究者6人がスピンアウトして共同創業者となり、2017年10月に設立したバイオベンチャーである。武田薬品工業時代に開発を進めていたパイプラインのなかから4品目を選び、同年11月に武田薬品工業と全世界の独占的研究、開発、製造及び販売に関するライセンス契約を締結して、開発をスタートさせた。武田薬品工業では2016年頃にグループ全体の研究開発戦略の見直しを検討するなかで、抗がん薬の自社開発については抗体医薬品や細胞治療などニューモダリティ分野に絞り込み、低分子化合物の開発については優先順位を下げる方針を決定した。この決定は低分子化合物の創薬に見込みがなくなったというわけではなく、事業の選択と集中を行う必要に迫られるなかで決定したものだ。こうしたなか、当時武田薬品工業のがん創薬ユニットの日本のヘッドであった現代表取締役の三宅 洋（みやけひろし）などがスピンアウトして、低分子化合物の創薬を継続していくことになった。なお、武田薬品工業とのライセンス契約の内容については、設立の経緯や武田薬品工業が同社株式の約16%を保有する筆頭株主となっていることもあって、一般的な経済条件よりも同社にとって有利な条件となっているようだ。

リードパイプラインであるCTX-712は、2018年8月に日本で第1相臨床試験を開始したことに続き、2023年2月に米国で第1/2相臨床試験を開始した。また、2020年12月にはCTX-177について小野薬品工業と全世界での独占的ライセンス契約を締結した（ライセンス契約一時金8億円及び開発・販売マイルストーンで最大521億円、販売ロイヤリティは1ケタ後半～2ケタ前半パーセント）。小野薬品工業では、2022年8月より米国で第1相臨床試験を開始している。

同社は日本市場では製薬企業として事業展開していくことを目指しており、そのための体制整備として製造委託先となるシオノギファーマと協業に関する基本合意書を、また物流・販売促進に関しては、メディカ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それぞれ2022年5月に締結した。なお、2024年8月末の従業員数は22名（うち、Ph.D.12名）で、当面は同水準を維持する方針である。

会社概要

会社沿革

年月	主な沿革
2017年10月	創業研究を目的として、神奈川県藤沢市の湘南ヘルスイノベーションパーク内にて会社を設立
2017年11月	武田薬品工業(株)とライセンス契約を締結し、4つのパイプラインの全世界での独占的研究、開発、製造及び商業化する権利を獲得 武田薬品工業(株)、京都大学イノベーションキャピタル(株)、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 相臨床試験を開始
2019年 3月	ジャフコグループ(株)、京都大学イノベーションキャピタル(株)、他数社を引受先とする出資契約を締結
2020年12月	小野薬品工業(株)に対し、同社が保有する抗がん薬化合物 CTX-177 及びその関連化合物を全世界で独占的に研究、開発、製造及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)、MEDIPAL Innovation 投資事業、新生キャピタルパートナーズ(株)、日本ベンチャーキャピタル(株)、シオノギファーマ(株)を引受先とする出資契約を締結 (株)メディバルホールディングスとの将来的な流通及び販売促進等における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)と低分子化合物の製造における協業に関する基本合意書を締結
2022年 8月	導出先である小野薬品工業(株)が抗がん薬化合物 CTX-177 (ONO-7018) の米国での第 1 相臨床試験を開始
2023年 2月	抗がん薬化合物 CTX-712 の米国での第 1/2 相臨床試験を開始
2023年 8月	抗がん薬化合物 CTX-712 の日本での第 1 相臨床試験の症例登録完了
2024年 6月	東京証券取引所グロース市場に株式を上場

出所：新株式発行並びに株式売出届出目論見書、決算説明資料よりフィスコ作成

RNA 制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発を進める

2. 事業概要

(1) 経営方針

同社は、「日本発」「世界初」の新しい抗がん薬を開発し、一日でも早く患者のもとに届けることで、『Tomorrow is Another Day～明日に希望を感じる社会』の実現を目指している。ファーストインクラスの抗がん薬を創ることをミッションに掲げ、その実現を通じて 2030 年には日本発の研究開発型の製薬会社に成長していくことをビジョンとしている。

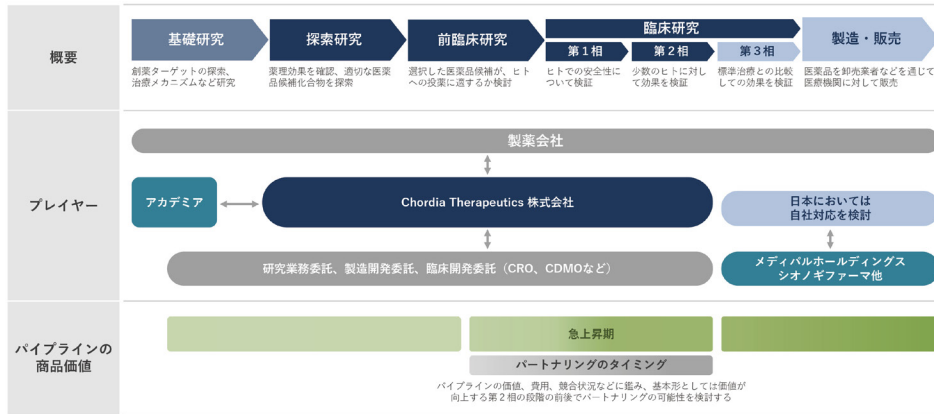
(2) ビジネスモデル

同社の特徴は、アカデミアとの連携によるシーズ探索能力と、製薬会社で培った創薬力によって上市させる研究開発能力を持つことにある。アカデミアとの共同研究に関しては、(国研)日本医療研究開発機構 (AMED) からの助成金も活用しながら効率的に進めているほか、新薬開発において重要となるバイオマーカーを発見するために、富士通の AI 技術なども活用しながら開発効率の向上に取り組んでいる。

医薬品の開発プロセスは基礎研究から始まり、探索研究、前臨床研究を経て、臨床試験によりヒトでの安全性・有効性を確認したのちに、製造販売承認を行い上市に至る。このうち同社は探索研究から臨床研究のなかでも第 2 相 (少数のヒトに対しての効果検証) までをコアビジネスとして行うことを基本方針としている。また、国内では製造・販売まで自社で行い、海外市場はライセンスアウトを活用する。ライセンスアウトのタイミングは、パイプラインの価値、費用、競合状況を鑑み、基本形としては価値が向上する第 2 相臨床試験前後で検討することになる。

会社概要

医薬品の開発プロセス



出所：決算説明資料より掲載

創薬のターゲットは医療ニーズの高いがん領域で、ファーストインクラス※の低分子化合物の創薬に取り組んでいる。新しい作用機序のため、安全性や有効性の予測が難しい反面、既存治療薬で効果の出なかった患者に対して大きな薬効が得られる可能性もある。薬価算定の際にその有効性や新規性に応じて高い価格に設定されることが多いため、グローバル製薬企業からの関心度も高く、大型ライセンス契約につながりやすい。同社ではこうした創薬研究を多くのアカデミアと共同で行っており、資金面ではAMEDからの助成金も活用しながら効率的に進めていることが特徴である。

※ 新しくユニークな作用機序により、既存治療薬と異なる有用性を示す革新的医薬品のこと。

アカデミアを中心とした11の共同研究



出所：決算説明資料より掲載

会社概要

(3) RNA 制御ストレスを標的とした抗がん薬

抗がん薬の標的となる分子を見つけ出すには、がん細胞のホールマーク（特徴）を見出し、正常細胞との違いを明らかにすることが重要とされている。近年の研究によってがん細胞には13のホールマークがあることが明らかとなっており、このうち免疫ストレスやDNA損傷ストレスなど10のホールマークを標的とした抗がん薬については、小野薬品工業のオプジーボなど多くのブロックバスターが創出されている。こうしたなか、同社はまだ上市品が存在しないRNA制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発を進めている。

RNA 制御ストレス
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：決算説明資料より掲載

がん細胞はRNAを生成する複数の過程が乱れ、正常細胞に比べて過剰にストレスが掛かっている状態にある。こうした状態に対して、さらにストレスを加える抗がん薬を投与することで、がん細胞を死滅させる。ストレスがかかっていない正常細胞も抗がん薬投与によってある程度のストレスがかかり、若干の副作用が生じるものの^{*}、時間経過とともにストレス状態から解消され正常な状態に戻ることが研究で明らかとなっている。

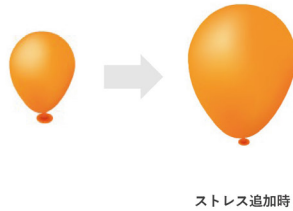
^{*} CTX-712の第1相臨床試験では、悪心や嘔吐などの副作用が確認されたが、制吐剤を投与することでコントロールが可能なレベルであり、安全性に問題ないことが確認されている。

会社概要

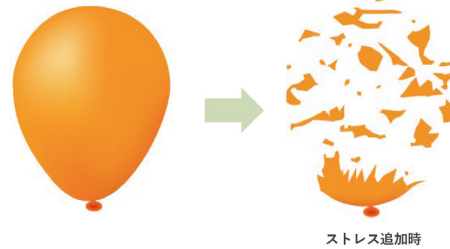
抗がん薬のコンセプト

正常細胞

がん細胞



ストレス追加時



ストレス追加時

出所：決算説明資料より掲載

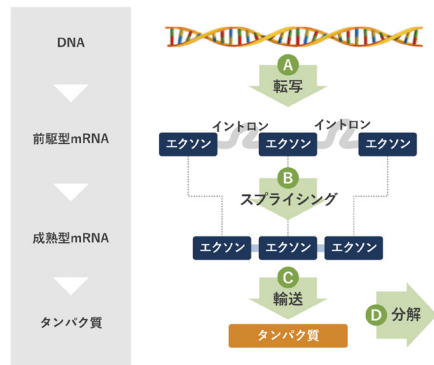
ヒトのタンパク質が生成される過程を簡単に見ると、DNA から遺伝子情報を転写することで前駆型 mRNA を生成し、次にタンパク質を作るために必要なスプライシング過程^{※1}を経て成熟型 mRNA となり、さらにトランスファー RNA をタンパク質合成の場に輸送することでタンパク質が生成される。同社はこの転写、スプライシング、輸送など各過程で働きを担う各種キナーゼ^{※2}を阻害する抗がん薬の開発を進めている。

※1 前駆型 mRNA からタンパク質合成に不必要な部分（イントロン）を取り除く工程。

※2 キナーゼとは、細胞の増殖や機能を調節する役割を担う酵素の総称。

RNA の生成プロセスと会社のパイプラインが作用する各過程

正常なRNAを生成し、タンパク質を生成する過程



出所：決算説明資料より掲載

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。

■ 開発パイプライン

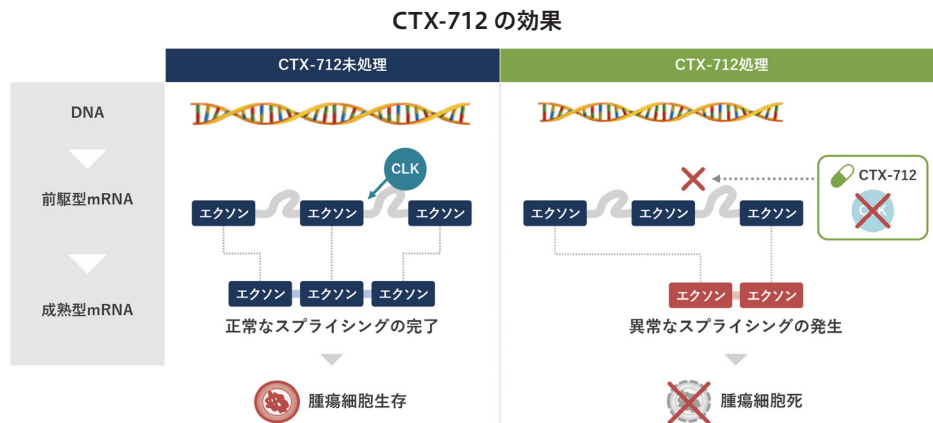
CTX-712 は 2 次治療以降の急性骨髄性白血病を対象とした臨床試験を米国で実施中、2027 年頃の販売承認申請を目指す

1. CTX-712 (CLK 阻害薬)

(1) 開発状況

現在のリードパイプラインである CTX-712 (CLK 阻害薬) は、mRNA 生成過程において重要な役割を担う CLK キナーゼ※の働きを阻害することで異常なスプライシングを発生させ、RNA 制御ストレスを増大させてがん細胞を死滅させる効果が期待されている。

※ CLK キナーゼは、基質である SR タンパク質をリン酸化する働きを持つ。SR タンパク質がリン酸化することで前駆型 mRNA のうち不要な箇所 (イントロン) が正確に取り除かれ、正常なスプライシングが促進される。



2018 年から 2023 年まで日本で実施した第 1 相臨床試験では、標準治療の効果が無い再発・難治性の急性骨髄性白血病 (以下、AML) や骨髄異形成症候群 (以下、MDS) ※1 などの血液がん及びその他固形がん (卵巣がん、乳がん、すい臓がん、大腸がん、肉腫等) の合計 60 症例を対象に安全性や有効性などを確認した。治験デザインは、週 2 回投与※2 で用量漸増試験を行い、主要評価項目として安全性、有効性、最大耐量、用量制限毒性を、副次的評価項目として薬物動態などのデータを収集、評価した。

※1 骨髄中で血液細胞のもとになる造血幹細胞に異常がおき、正常な血液細胞 (赤血球、白血球、血小板) がつくれなくなる疾患で、病状が進行すると AML に移行する場合がある。

※2 間隔をあけて投与するのは、CTX-712 の投与によってストレスが掛かった正常細胞の状態を元に戻すため。

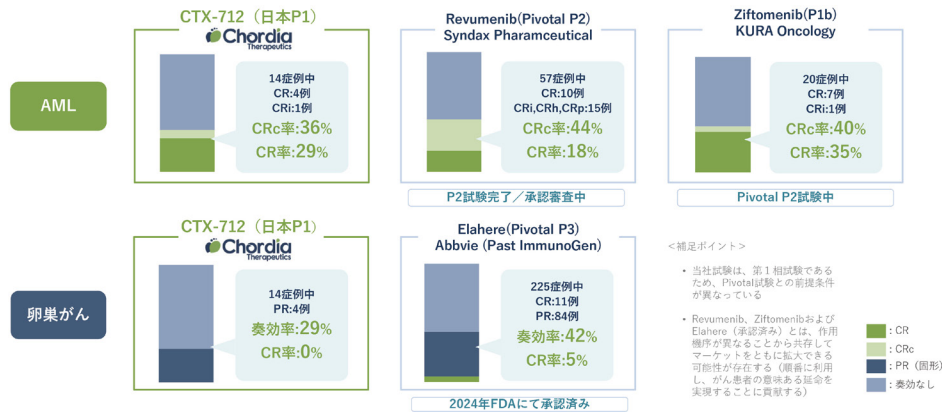
開発パイプライン

被験者投与を進めるなかで、血液がんや卵巣がんでの薬効が確認できたため、これら疾患の患者を優先的に組み入れることにし、結果的に血液がん14例、卵巣がん14例、その他固形がん32例となった。試験結果については、2024年4月に開催された米国がん学会において発表しており(2023年11月時点までのデータ)、有害事象としては悪心、嘔吐、下痢などが挙げられたが、既述のとおり制吐剤などを投与することでコントロールが可能であり、安全性について問題のないことが確認された。

有効性に関しては、卵巣がん14例中4例でPR(部分奏功)^{※1}が確認されたほか、AML及びMDS計14例(うちAML12例)のうち、4例でCR(完全寛解)、1例でCRI(好中球未回復の完全寛解)、1例でMLFS(形態学的無白血病状態)が確認され、奏効率で43%、CR率で29%となった^{※2}。これら有効性については、AML治療薬として承認された第一三共<4568>のヴァンフリタや、抗がん薬としてブロックバスターに育った小野薬品工業のオブジーボの第1相臨床試験結果と比較しても遜色ない水準^{※3}であるほか、直近でFDAに承認または承認申請を行っているAML治療薬や卵巣がん治療薬との比較においても比肩しうる成績であり、上市に向けて期待が持てる結果が得られたと社では評価している。

※1 PR(Partial Response)は、治療前と比較して腫瘍の大きさが30%以上縮小した状態。白血病におけるCR(Complete Remission)は、骨髄に存在する白血病細胞の割合が5%未満であり、正常な好中球と血小板の数が完全に回復している状態。CRI(Complete Remission with Incomplete hematologic recovery)は、骨髄に存在する白血病細胞の割合が5%未満であるが、好中球、血小板のどちらか一方、又はその両方の回復が不完全な状態。MLFS(Morphologic Leukemia Free State)は、骨髄検査で白血病細胞が見つからない(光学顕微鏡で検出できない)状態。
 ※2 固形がんの残りの症例については約5割の被験者で腫瘍縮小が確認されたが、PRを達成するまでには至らなかった。
 ※3 ヴァンフリタは16例中、CRを達成した症例はなかったものの56%が何らかの奏功を示した(奏効率56%)。オブジーボは第1相臨床試験で、初めて承認取得したメラノーマで4例中1例のCRを達成した(奏効率25%)

FDAにて承認・承認申請を行っている治療薬との比較



出所：決算説明資料より掲載

開発パイプライン

なお、CTX-712を投与した被験者すべてで、スプライシング異常が引き起こされたことが確認されている。また、AML及びMDSの被験者14例中、投与前の段階でスプライシング因子に異常があった被験者4例のうち3例で奏功が確認されたほか、3例すべてで投与期間が300日以上と長期間の奏功が認められるなど、患者が保有するスプライシング異常と治療効果の相関が強いことがわかっている。がん種別でスプライシング因子に異常を持つ患者の割合を見ると、肺がんや乳がんなどは1～2%と低いのに対して、AMLが10～20%、MDSが40%と血液がんで相対的に高い傾向となっている。また、AMLについては標準治療が効かずに再発する可能性が高く、5年生存率も30%程度と低いことから、新たな治療法の開発が強く望まれている領域となって状況も踏まえて、同社はまず2次治療以降のAMLを適応対象として開発を進めていくことを決定し、米国で2023年より第1/2相臨床試験を開始した*

※米国でも第1相を行うことになったのは、日本で実施した臨床試験でカプセル剤を用いたのに対して、米国では市販を見据えて錠剤で試験を行うことになったため。

米国での臨床試験は当初、2024年末頃に第1相パートを終え、中間成績を2025年半ばに発表する予定であったが、FDAが3年前に提唱した「プロジェクト・オプティマス^{※1}」に則って、第1相試験の組入れ数を増やす方針に転換した^{※2}ことにより、中間成績の発表は2025年末頃に延伸する見込みとなった。第1/2相臨床試験の予定症例数(140～170例)のうち、第1相パートは当初20例程度(週1回投与の用量漸増試験)を予定していたが、現在、週2回投与の漸増試験を追加すべくFDAとプロトコル改定の協議を進めている。2024年8月末時点で週1回投与群20例の組み入れが完了しており、週2回投与の追加組入れにより第1相パートは当初予定から半年から1年程度延伸することになるが、全体の組入れ数はほぼ変わらないため(第2相の組入れ数が減少)、全体のスケジュールについてはほぼ変わらないもようで、順調に組入れが進めば2026年末には最終結果が発表される見通しだ。

※1 FDAが、がん治療薬の開発において投与量の最適化と安全性向上を目的として、第1相段階で複数の用量・用法を検討したうえで第2相臨床試験を行うことが望ましいとの指針を示した。

※2 米国で「プロジェクト・オプティマス」に未対応だった他社の開発品が、販売承認申請しようとしたところ、FDAから差し戻されるといったケースがあり、第2相臨床試験後に販売承認を得るためには同指針に対応しておいたほうが良いとのコンサルティング会社からの助言があり、方針転換した。

第2相パートについては、米国だけでなく日本でも実施すべくPMDAと協議していくことにしている。米国では希少疾病医薬品となるオーファンドラッグ申請を2024年内に行い、第2相臨床試験の結果が良ければ販売承認申請を行う予定だ。一方、日本でも先駆的医薬品指定制度[※]を活用することで、第2相臨床試験後に承認申請を行うことになる。順調に進めば、2028年に日米で上市する可能性がある。

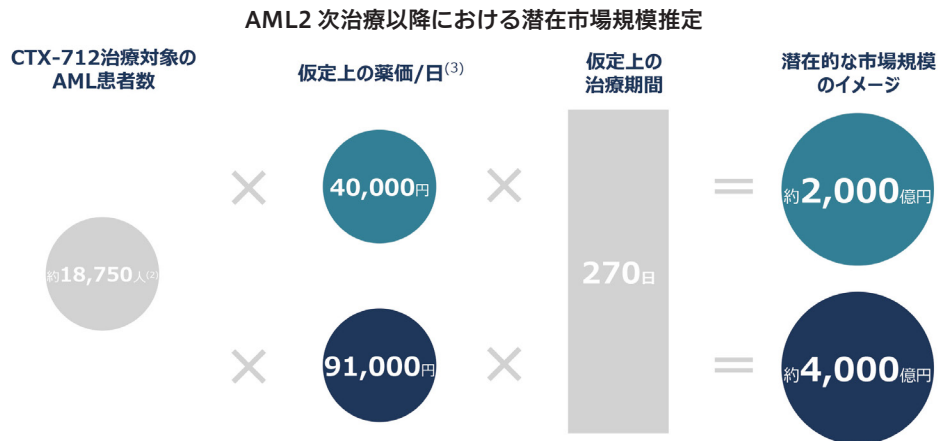
※治療薬の画期性や対象疾患の重篤性、対象疾患にかかるきわめて高い有効性、世界に先駆けて(または同時に)日本で早期開発・申請する意思・体制などの指定基準を満たした開発品目を先駆的医薬品として厚労省が指定し、審査や相談などを優先的に行うことで早期実用化を目指す制度(通常1年間の審査期間を6ヶ月に短縮することを目標)。

(2) 2次治療以降のAML治療薬としての潜在市場規模

AMLの患者数は日米欧の主要国で年間5万人程度と推計されており、このうち一次治療の効果がなく又は再発した患者が2次治療に進むことになる。その確率は最大で50%と見ており、このうち治療薬のある遺伝子変異(FLT3、IDH1/2等)を持たない患者と、当該治療薬が効かずに3次治療へ進む患者がCTX-712の最初のターゲットとなる。同社では最大で約1.8万人の患者数がターゲットになると試算している。

開発パイプライン

これらターゲット患者数に、既存薬を参考にした1日当たり薬価(4万円~9.1万円)と平均治療期間(約270日)を掛け合わせたものが潜在市場規模となり、計算では2,000~4,000億円となる。2次治療以降のAML治療薬として販売承認が得られれば、一次治療やその他のがん種へ順次適応拡大を進めていく戦略であり、ブロックバスターに成長するポテンシャルを秘めている。



出所：決算説明資料より掲載

(3) 卵巣がんの開発戦略と潜在市場規模

卵巣がんにおける薬物療法としては、プラチナ製剤とタキサン系製剤を組み合わせたTC療法が標準療法として広く普及しており、また、がん細胞に特徴的な分子を標的にした治療薬も開発されている。このため、卵巣がんにおいては、再発・難治性でプラチナ製剤抵抗性を持つ3次治療以降の治療法が限定的な患者を最初のターゲットとして開発を進めていく方針だが、具体的なスケジュールは未定となっている。ターゲットとなる患者数は日米欧の主要国で1.9万人程度と同社では推計している。また、潜在市場規模は対象患者数に仮定上の薬価/日(4万円~9.1万円)と平均治療期間(約135日)を掛け合わせ、1,000~2,000億円になると同社では試算している。

(4) 製造販売体制

日本では自社で製造販売する方針としており、製造については2022年に協業契約を行ったシオノギファーマに委託する意向をもっている。また、物流や販売促進活動については業務提携先のメディカルホールディングスが担うことになる。一方、米国等での販売についてはグローバル製薬企業と販売ライセンス契約を締結して市場を開拓していく方針で、既に複数社と秘密保持契約(NDA)を結んで情報提供を行っている。ライセンス契約を締結するタイミングとして、第1相パートの中間成績結果もしくは第2相パートまで含めた最終試験結果を見て、候補先企業が判断することになる。同社では製品価値が最大化するよう有利な条件を引き出し、ライセンス契約に結び付けたい意向である。

開発パイプライン

(5) CLK 阻害薬の競合他社の状況

CLK 阻害薬を開発しているバイオベンチャーが米国に3社あるが、現段階ではいずれも脅威にはならないと同社では見ている。Biosplice で実施した第1相臨床試験の結果は、単剤投与で奏効率0%という結果に終わっており(6名の患者で10%以上の腫瘍サイズ縮小を確認)、現在は併用療法で前立腺がんや大腸がんなどを対象とした第1相臨床試験を実施するにとどまっております、患者での有効性をしっかりと示せていない状態と言える。また、BlossomHills Therapeutics はAMLを対象とした第1相臨床試験を開始し、患者登録を始めた段階であり、同社から見ると5年程度遅れており、さらに薬剤もCLK以外のキナーゼを阻害するマルチキナーゼ阻害薬となっており、副作用リスクが大きくなるリスクも持つと見られる。Redona Therapeutics についても、現状は臨床候補化合物の選択を行っている段階にとどまっております、臨床試験入りするまでにはまだしばらく時間を要するものと見られる。

CLK 阻害薬の開発では同社が最も先行している状況となっており、物質特許もすでに世界主要51カ国で権利化済みとなっている。このため、臨床試験で良好な結果を示せばビッグディールにつながる可能性があり、2025年末頃の発表が見込まれる第1相パートの中間成績の内容が注目される。

MALT1 阻害薬は小野薬品工業に最大500億円超の条件で導出済み

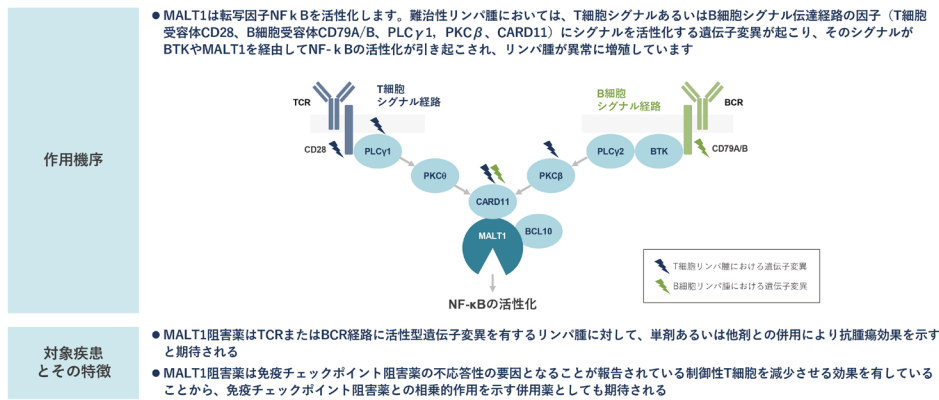
2. MALT1 阻害薬

(1) MALT1 阻害薬の作用機序と早期導出の背景

MALT1 阻害薬は難治性リンパ腫向けの治療効果が期待される開発パイプラインで、前臨床試験実施後の2020年に小野薬品工業に対して早期導出を実現した。

難治性リンパ腫では、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(粘膜関連リンパ組織リンパ腫転位タンパク質1)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することが知られている。

MALT1 阻害薬



Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2024年11月19日(火)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/jr.html>

開発パイプライン

MALT1 阻害薬はこうしたシグナル伝達経路に活性化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(BTK 阻害剤等)との併用により抗腫瘍効果を示すことが期待されている。特に 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剤との相乗的作用を示す併用薬としても期待され、オブジーボを持つ小野薬品工業が導入する意義が大きかったこと、さらに小野薬品工業では BTK 阻害薬の販売していたこともライセンス契約を行う一因になったと考えられる。同じシグナル伝達経路で複数個所を阻害できれば薬効が一段と強まるためだ。

一方、同社が早期導出を決断した背景としては、2019年にリンパ腫治療薬の業界リーダー的存在であった Janssen が MALT1 阻害剤の第 1 相臨床試験を開始したことが大きい。同社は Janssen に対して 2～3 年開発が遅れている状況や資金面なども勘案した結果、自社で開発を進めるよりも早期導出したほうが良いとの経営判断となった。

(2) ライセンス契約の経済条件と開発状況

ライセンス契約の経済条件として、契約一時金 8 億円(2021 年 8 月期)と第 1 相臨床試験開始に伴うマイルストーン 25 億円(2023 年 8 月期)を既に受領しており、今後の開発マイルストーン及び商用マイルストーンで最大 496 億円、並びに売上高に応じたロイヤリティを 1 ケタ後半から 2 ケタ前半パーセント得る契約となっている。

小野薬品工業における ONO-7018 (CTX-177) の開発状況については、2022 年 8 月に米国で再発・難治性の非ホジキンリンパ腫もしくは慢性リンパ白血病を対象とした第 1 相臨床試験を開始(1 例目の組み入れは 2023 年 2 月、目標症例数 108 例、試験終了予定日 2027 年末[※])したほか、日本でも 2024 年 8 月より再発・難治性非ホジキンリンパ腫を対象とした第 1 相臨床試験(目標症例数 24 例、試験終了予定日 2029 年末[※])を開始している。なお、MALT1 阻害薬については ONO-7018 を含めて 5 品目が第 1 相臨床試験を行っている段階にある。このうち、Janssen の Safimaltib は被験者登録が完了しており、一歩先行している状況にある。

※ 出所は米国が ClinicalTrials.gov、日本が臨床研究情報ポータルサイト。

開発パイプライン

その他のパイプラインについては 臨床試験前段階での早期導出を目指す

3. その他のパイプライン

その他のパイプラインとして、固形がんを対象とした CTX-439 (CDK12 阻害薬) や血液がんを対象とした GCN2 阻害薬、並びに新規パイプラインがあるが、同社は CTX-712 の上市による早期収益化を最優先課題として掲げ、経営リソースを集中投下していく方針を決定している。このため、これらのパイプラインについては CTX-177 と同様に、臨床試験前の段階で導出すべくビジネスパートナーを探索していくようだ。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 の転写を抑制する効果がある。この mRNA の転写を抑制することで異常な mRNA が蓄積し、過剰なストレスがかかったがん細胞が死滅する作用機序となる。既に前臨床試験において動物での安全性、有効性を確認、また原薬製造は完了しており、現在は製剤化の検討段階に入っているが、同試験データを持ってライセンス交渉を進めていくことになる。GCN2 阻害薬は探索研究段階であり、前臨床試験を実施後の導出を目指す。

開発パイプライン

プログラム名 (ターゲット)	主要適応がん種	地域	開発状況	開発及び商用化権利
CTX-712 (CLK)	AML/MDS、卵巣がん、その他固形がん	日本	第 1 相臨床試験終了	自社
	AML	米国	第 1/2 相臨床試験中	自社 (販売ライセンス契約先探索)
CTX-177 (MALT1)	リンパ系腫瘍	米国	第 1 相臨床試験中	小野薬品工業
CTX-439 (CDK12)	固形がん	-	前臨床試験終了	自社 (早期導出目標)
(GCN2)	血液がん、固形がん	-	探索研究	自社 (早期導出目標)
新規パイプライン	血液がん、固形がん	-	探索研究	自社 (早期導出目標)

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

業績動向

2024年8月期は事業収益の計上がなく、経常損失を計上

1. 2024年8月期の業績概要

2024年8月期の事業収益の計上がなく(前期はマイルストーン収入2,500百万円を計上)、営業損失で1,801百万円(前期は212百万円の利益)、経常損失で1,824百万円(同225百万円の利益)、当期純損失で1,827百万円(同223百万円の利益)となった。

業績動向

2024年8月期業績

(単位：百万円)

	23/8期 実績	24/8期		前期比 増減額	計画比 増減額
		会社計画	実績		
事業収益	2,500	-	-	-2,500	-
研究開発費	1,996	1,948	1,499	-497	-448
CTX-712	686	-	1,018	331	-
CTX-177	3	-	0	-2	-
CTX-439	616	-	132	-483	-
その他(人件費含む)	690	-	347	-342	-
その他一般管理費	291	324	301	10	-22
営業利益	212	-2,273	-1,801	-2,013	471
経常利益	225	-2,278	-1,824	-2,050	453
当期純利益	223	-2,280	-1,827	-2,050	452

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

研究開発費は1,499百万円と前期比で497百万円の減少となった。内訳は、CTX-712が米国での第1/2相臨床試験開始により同331百万円増の1,018百万円となった一方で、安全性試験や治験原薬の製造を終えたCTX-439が同483百万円減の132百万円となったほか、その他開発費が同342百万円減の347百万円となった。また、営業外では助成金収入17百万円、株式上場関連費用28百万円などを計上した。

2025年8月期もCTX-712の開発費用増加により損失が続く見通し

2. 2025年8月期の業績見通し

2025年8月期も事業収益の計上予定はなく、営業損失で2,434百万円(前期は1,801百万円の損失)、経常損失で2,378百万円(同1,842百万円の損失)、当期純損失で2,380百万円(同1,827百万円の損失)と損失が続く見通し。

2025年8月期業績見通し

(単位：百万円)

	24/8期 実績	25/8期 会社計画	前期比 増減額
事業収益	-	-	-
研究開発費	1,499	2,025	525
CTX-712	1,018	1,610	592
CTX-177	0	0	-0
CTX-439	132	18	-114
その他(人件費含む)	347	396	49
その他一般管理費	301	408	107
営業利益	-1,801	-2,434	-633
経常利益	-1,824	-2,378	-553
当期純利益	-1,827	-2,380	-553

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

業績動向

研究開発費は CTX-712 の第 1/2 相臨床試験費用（治験薬製造費用含む）1,610 百万円を中心に、同 525 百万円増加の 2,025 百万円を見込む。CTX-439 については既述の通り自社開発を行わず導出する方針であることから 18 百万円（AMED からの助成金を受けた活動費用のみ）まで減少する見通しだ。その他一般管理費は、特許取得関連費用を中心に同 107 百万円増の 408 百万円を見込んでいる。また、営業外収支は AMED からの助成金 56 百万円（5 つのプログラム）の計上を見込むほか、株式上場関連費用がなくなることで前期比 80 百万円改善する見通しだ。なお、研究開発費については CTX-712 の開発を中心に進めていくことから、当面は 20 億円程度の水準が続くものと予想される。

株式上場で 14 億円の資金を調達、 当面は 1 年分の事業活動資金を目安に手元キャッシュを確保する方針

3. 財務状況

2024 年 8 月期末の財務状況を見ると、資産合計は前期末比 276 百万円減少の 4,632 百万円となった。株式上場に伴う新株発行収入 1,464 百万円があったものの、事業活動資金の支出に伴い現金及び預金が同 469 百万円減少した。

負債合計は前期末比 62 百万円増加の 471 百万円となった。主に未払金が 133 百万円増加したことによる。また、純資産合計は同 339 百万円減少の 4,161 百万円となった。新株発行に伴い資本金及び資本剰余金がそれぞれ 755 百万円増加した一方で、当期純損失の計上により利益剰余金が 1,827 百万円減少した。

経営の安全性指標である自己資本比率は前期末比 1.4 ポイント低下の 89.8% となった。継続的な収入がないバイオベンチャーの場合、金融機関から借入れを行うことは困難なため、有利子負債残高はないものの、当面は開発ステージが続くため手元キャッシュは減少していくことになる。2024 年 8 月末時点で 4,329 百万円のキャッシュがあるが、2025 年 8 月期は 2,380 百万円の当期純損失を見込んでいることから、1 年後の 2025 年 8 月期末のキャッシュは 2,000 百万円前後まで減少することが予想される。同社ではキャッシュポジションについて、事業活動資金の 1 年分程度を確保しておきたいとの考えであり、今後同水準を下回りそうな場合には、エクイティファイナンスにより資金調達していくことになりそうだ。

業績動向

貸借対照表

(単位：百万円)

	22/8 期末	23/8 期末	24/8 期末	増減額
流動資産	4,482	4,891	4,605	-286
(現金及び預金)	4,254	4,799	4,329	-469
固定資産	16	17	26	9
資産合計	4,498	4,909	4,632	-276
負債合計	221	408	471	62
(有利子負債)	-	-	-	-
純資産合計	4,277	4,500	4,161	-339
(安全性)				
自己資本比率	94.5%	91.2%	89.8%	-1.4pp
有利子負債比率	-	-	-	-

出所：決算短信、新株式発行並びに株式売出届出目論見書よりフィスコ作成

CTX-712 の価値最大化に向けリソースを集中投下し、早期収益化を目指す

4. 今後の事業方針

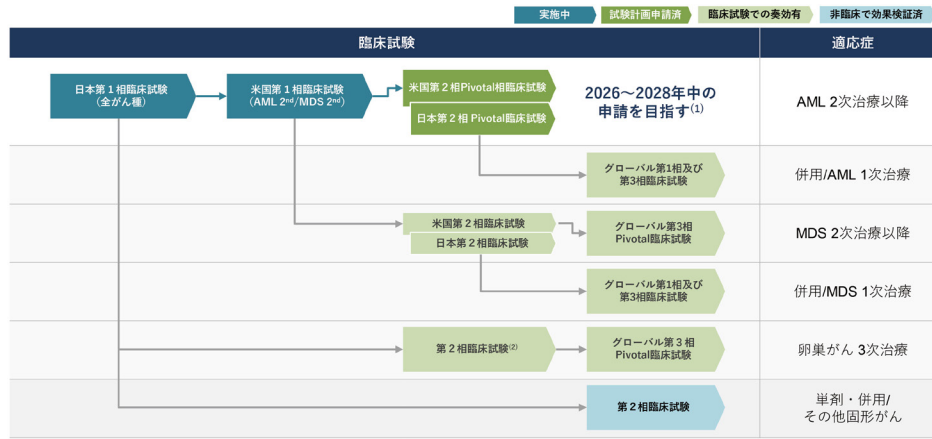
同社は「『日本発』『世界初』のこれまでにない新しい抗がん薬を、一日でも早く患者様のもとに。」をスローガンに、2030年ビジョンとして掲げた「日本発の研究開発型の製薬会社になる」ことを目指している。国内についてはアライアンス戦略により自社による製造販売を展開し、海外市場ではグローバル製薬企業とライセンス契約を締結することで効率的に事業を拡大していく戦略だ。

開発戦略としては、当面は早期収益化の実現を目標に、CTX-712に経営リソースを集中し、まずは再発・難治性AMLの米国および日本での販売承認を得ることを最優先に取り組み、その後はAMLの一次治療やその他のがん種への適応拡大を進めることでCTX-712の製品価値最大化を目指す。既述の通り潜在市場規模は大きく、ブロックバスターとして育つポテンシャルを持つことから、2025年末頃に発表が見込まれる第1相パートの中間成績結果の内容が注目される。良好な結果が得られれば、海外でのライセンス契約締結の可能性が一気に高まると弊社では見ている。その後の第2相パートの組み入れが順調に進み、主要評価項目となっているCR率で期待通りの結果※を得ることができれば、2027年前半に承認申請を行い2028年8月期には販売収入を計上できるものと予想される。また、同時期に小野薬品工業に導出したMALT1阻害薬の開発進展に伴う2回目のマイルストーン収入を得られる可能性もあり、これらが実現すれば単年度の黒字化達成も視野に入ってくることになる。

※ AML治療薬として米国での販売承認が有力視されているSyndax PharmaceuticalsのRevumenibはPivotal P2試験でCR率18%だった。このため、CR率が20%程度以上であれば承認される可能性が高いと弊社では見ている（日本で実施されたP1試験ではCR率29%だった）。

業績動向

開発戦略



出所：決算説明資料より掲載

重要事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。

本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp