



Veritas In Silico

Bringing new hope with mRNA-targeted drugs



事業計画及び成長可能性に関する 説明資料

株式会社 Veritas In Silico

証券コード: 130A

2026年2月12日

今後の成長戦略: スペシャリティファーマへの変革を目指して

プラットフォームの技術を進化させ **aibVIS** で創薬研究を加速

創薬プラットフォーム **ibVIS**® に実装されている複数のAIそれぞれの発展・機能強化を図り **aibVIS** に進化。
新たな特化型AIの実装により、さらなる機能強化を図り創薬研究を一層加速させる。

知的財産の拡充により企業価値を向上させる

知的財産の拡充を進め、今後の企業価値向上につなげる。新規技術の開発とともに、現有技術の改良も進め、
技術力を一層の底上げを図る。
当社独自の革新的ドラッグデリバリーシステム(DDS)の実用化を進め、核酸医薬品の抜本的課題の解決を図る。

戦略的アライアンスを構築し、ビジネスの守備範囲を拡大する

戦略的アライアンス構築により、当社の技術力、ノウハウ等を活かし、mRNA標的創薬の周辺領域
(農薬、医療器具の取扱等)でも収益機会の確保を図る。

ハイブリッド型ビジネスを経て スペシャリティファーマ(中堅製薬会社)へ

創薬プラットフォーム **aibVIS** を活用し、プラットフォーム型ビジネスとして新規契約を毎年2件の締結を目標とする。
将来価値の高い自社パイプラインを毎年1本創出し、着実に中長期的な企業価値向上につなげる。

製薬業界では大手製薬会社が医薬品候補物質の導入を重視し自社創薬を控える傾向が加速している。その潮流に慎重であった日欧の製薬会社も急速に追従しつつあり、大手製薬会社とのプラットフォーム契約機会は世界的に減少傾向にある。

01

プラットフォーム事業: 潮流を理解しつつチャンスを広げる

- 既存の共同創薬研究を進捗させて、mRNA標的的低分子創薬の成功事例を作る
 - 技術的なブレイクスルーを示して、業界の潮流を変化させる
- 創薬の意欲が旺盛な国内外バイオテックとの契約を締結し、将来価値の高くなるプロジェクトを推進する
- 大手製薬会社との契約に向けて引き続き取り組み、早期収益を得られるプロジェクトの実現を目指す

02

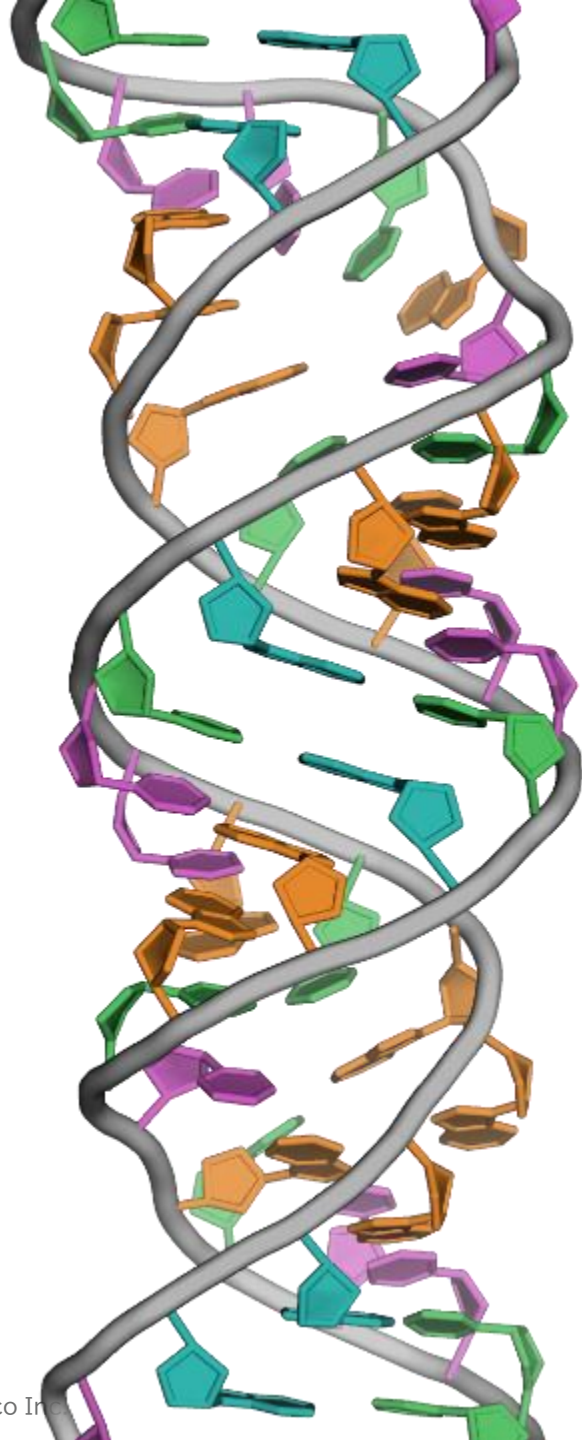
自社パイプラインの拡充: 製薬会社が求める医薬品候補物質創出する

- パイプライン1については、DDSによる臨床試験のコストと期間を抜本的に削減し、将来価値の向上と早期マネタイズを意識する
- パイプライン2については、2026年度に創出する

03

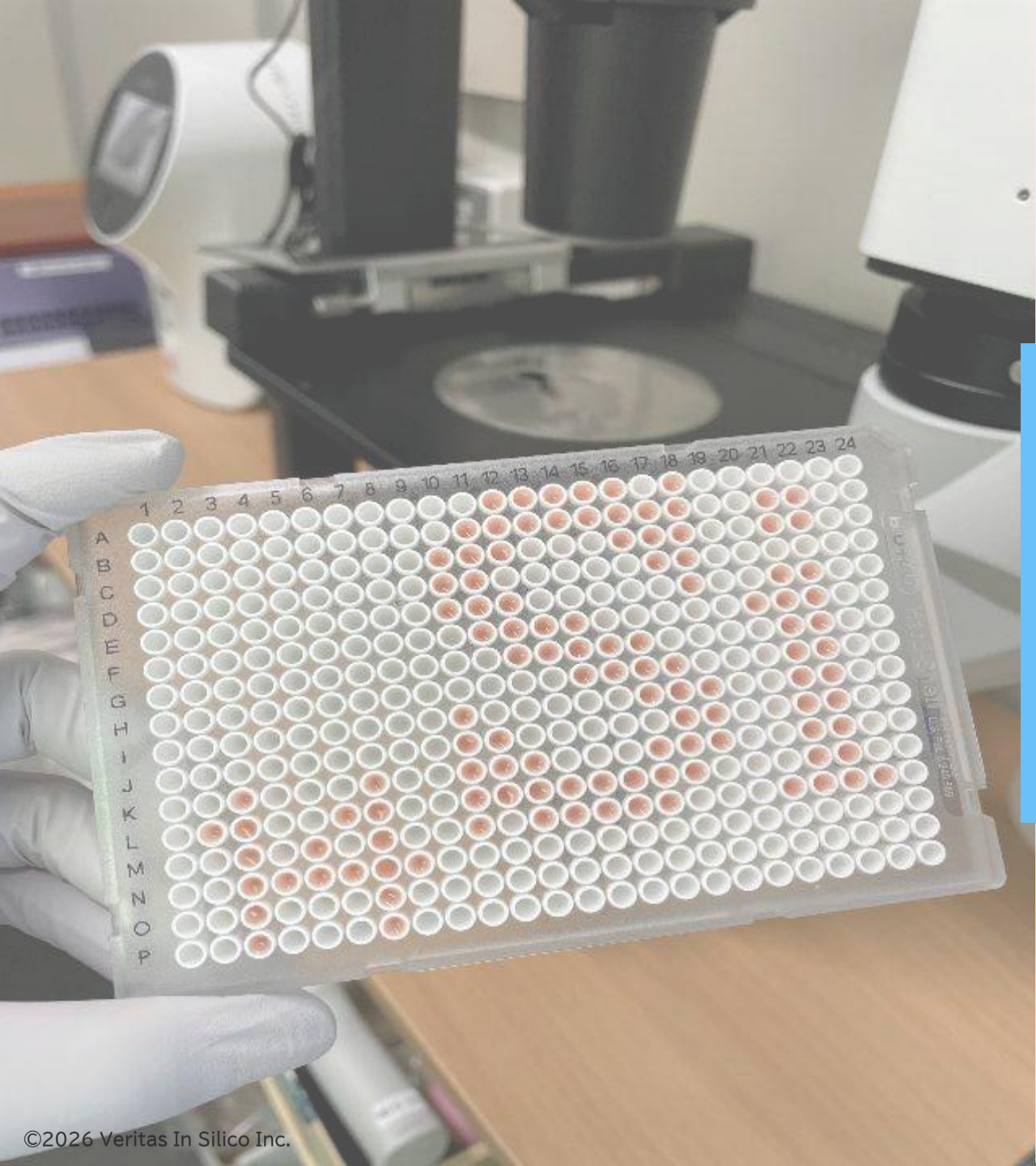
多角化を通じた事業の安定を図る

- 当社AI創薬プラットフォームaibVISの応用性を活かし、農薬事業について参入する
- DDS自体のライセンスアウトによる収益化も視野に入れる



Contents

- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク



- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク

治療“できない”を“できる”にするバイオテック企業

少数精鋭の専門家たちによるAI創薬のバイオテック企業

会社名	株式会社Veritas In Silico (VIS)
設立	2016年11月17日
本社	東京都品川区西五反田一丁目11番1号
事業所	新川崎研究所:神奈川県川崎市 新潟研究所:新潟県新潟市
代表者	代表取締役社長 中村 慎吾
従業員数	19名(2025年12月末現在)
事業内容	独自のAI創薬プラットフォーム ai bVISにより、製薬会社をパートナーとして、mRNA標的的低分子医薬品の創出に取り組む。 2025年より、核酸医薬品を中心に自社パイプライン創出にも取り組む。



新川崎研究所
(かわさき新産業創造センター内)



新潟研究所
(新潟薬科大学内)

パートナーとの創薬研究と自社パイプライン事業のバランスのとれたビジネス展開

mRNA標的の低分子医薬品の共同創薬研究と合わせて、パイプライン創出でも各社と提携。
加えて2025年度以降、毎年一本の自社パイプライン創出を推進。



代表者略歴: 科学研究と企業経営の経験をVISで結実

当社設立後、科学者としての経験、各種業界でのビジネス経験を最大限活用し、mRNA標的的低分子創薬事業を実現。



代表取締役社長
中村 慎吾 PhD

創薬研究から事業開発、営業、
企業経営、バイオテック企業への投資に
至るまで幅広い実務経験を有する。

～2003 科学者としての経歴

- ・ 名古屋大学にて情報工学を学び、有機化学で博士号を取得
 - ・ 米国エール大学で博士研究員として、RNA生物学を研究
- mRNA標的的低分子創薬の概念は、これら科学的背景をもとに発想

2003-2011 製薬業界での経歴

- ・ 武田薬品にてmRNA標的的低分子創薬の社内プロジェクトを7年間主導
- ・ 世界初のmRNA標的的低分子創薬のビジネスモデル特許を2004年に出願



2011-2015 ビジネスの経歴

- ・ 米国Dow Chemical の営業部マネジャー
- ・ Catalent社¹の事業開発ディレクター



2015-2017 投資家としての経歴

- ・ 産業革新機構にてベンチャーキャピタリストとして投資業務に従事
 - ・ 投資先バイオテック企業の取締役業務に従事
- これら業務を通じて、会社設立と会社経営の実務経験を積む



2016～ Veritas In Silicoを設立

- ・ 当社設立。代表取締役社長に就任(現職)



¹ 米国・ニュージャージー州に本社を置き、製薬会社及びバイオテック企業向けにデリバリー技術、医薬品製造、生物製剤、遺伝子治療薬、消費者向け健康製品を提供するグローバル医薬品受託製造会社(CDMO)

執行役員体制:VISの専門家たちを率いる実務経験者

製薬・バイオや財務に精通した経営陣が連携し、組織的・効率的な意思決定を推進。



取締役執行役員・管理部長
萩原 宏昭

管理部門として30年以上の実務経験を持ち、当社を含め2度IPOを成功させた経験を有する。



取締役執行役員・事業開発部長
甲田 伊佐男 PhD

医薬品の創薬研究、臨床開発から事業開発に従事し、医薬品業界で40年以上（そのうち米国Merckで約15年）の実務経験を有する。



社外取締役・独立役員
小南 欽一郎 PhD

テック&フィンストラテジー株式会社代表取締役

九州大学にて教員を勤めた後、野村証券等でバイオアナリストとして活動し、バイオテック業界に幅広い人脈を有する。



執行役員・経営企画部長
郷田 恒雄

SMBC日興証券などでIPO業務に20年以上従事した後、事業会社でIPO及び上場後のIRを主導した実務経験を有する。



執行役員・研究戦略部長
笹川 達也 PhD

アステラス製薬で10年以上研究開発に従事し、再生医療ベンチャーなど複数の企業で事業開発およびプロジェクトマネジメントに従事した経験を有する。



CSO
森下 えら PhD

RNA標的医薬品の研究に20年以上従事し、東京大学と理化学研究所で分子生物学とRNA構造の研究経験を有する。



- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク

当社独自のAI創薬プラットフォームaibVISの高い汎用性と拡張性を活かし、複数の事業機会を戦略的に展開。

プラットフォーム事業

mRNA標的的低分子医薬品

従来のタンパク質標的の低分子創薬では有効な治療薬が見つからない疾病や、高価な治療法しかない治療ニーズへの解決策となる。

自社パイプライン創出

核酸医薬品

aibVISによって短期間に核酸医薬品の創出が可能となる。希少疾患に対する治療の可能性を提供していく。

プラットフォーム事業

mRNA標的的低分子農薬

aibVISは、ヒト医療用医薬品に限らず農薬の創出にも応用可能。自然環境や人体への影響が少ない農薬を創出する。

ライセンスアウト

ドラッグデリバリーシステム

効果的な投薬を可能にすることにより、核酸医薬品の抱える課題を抜本的に解決する。

従来のAI創薬プラットフォーム
を特化型AIによって強化した

aibVIS

で事業の多角化を実現

安定性と収益性を兼ね備えた収益体制を構築

研究開始から製品が市場に出るまで約10年¹

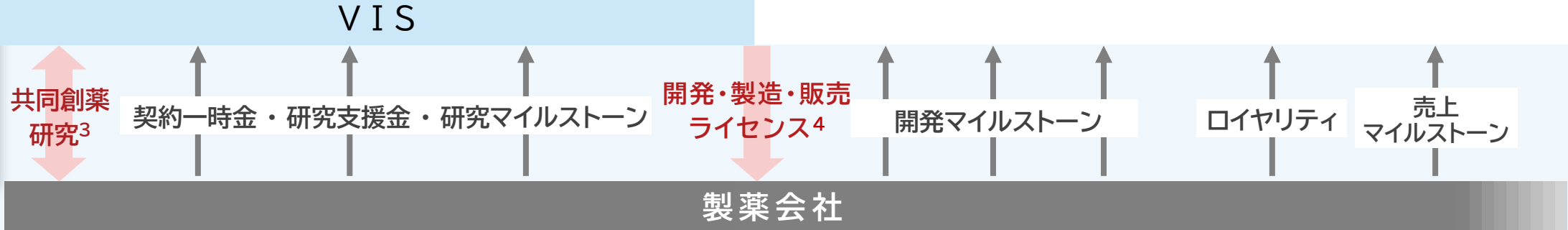
創薬研究
2～4年

開発²
6～8年

販売

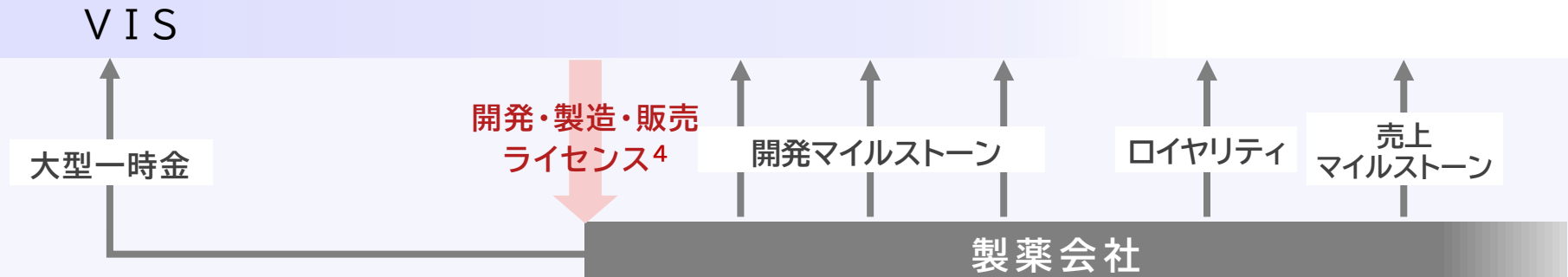
共同創薬研究によって、創薬初期から安定的な収益を獲得する収益構造

プラット
フォーム型



自社パイプラインを先行的に構築し、ライセンスアウトすることで大型の一時金とマイルストーンを得る収益構造

パイプライン型



↑ 収益発生ポイント

¹ 上市までの期間については、実際の研究開発状況により大きく異なる可能性がある。

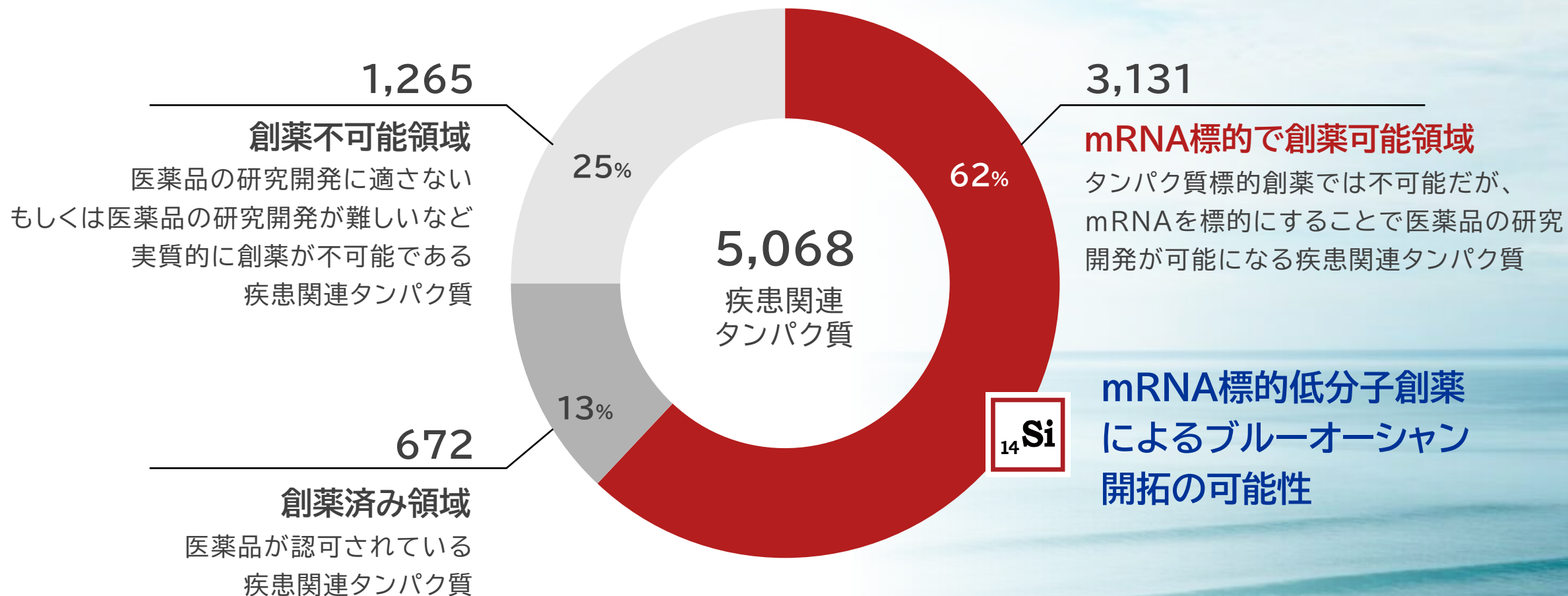
² 現時点(2025年9月末現在)、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績ない。

³ aibVISを使用した当社と製薬会社の協業は、創薬研究期間中に限られる。

⁴ 開発・製造・販売ライセンスに関する取り決めについては、基本的に共同創薬研究契約の締結時に盛り込まれる。

治療“できない”を“できる”にするmRNA標的創薬

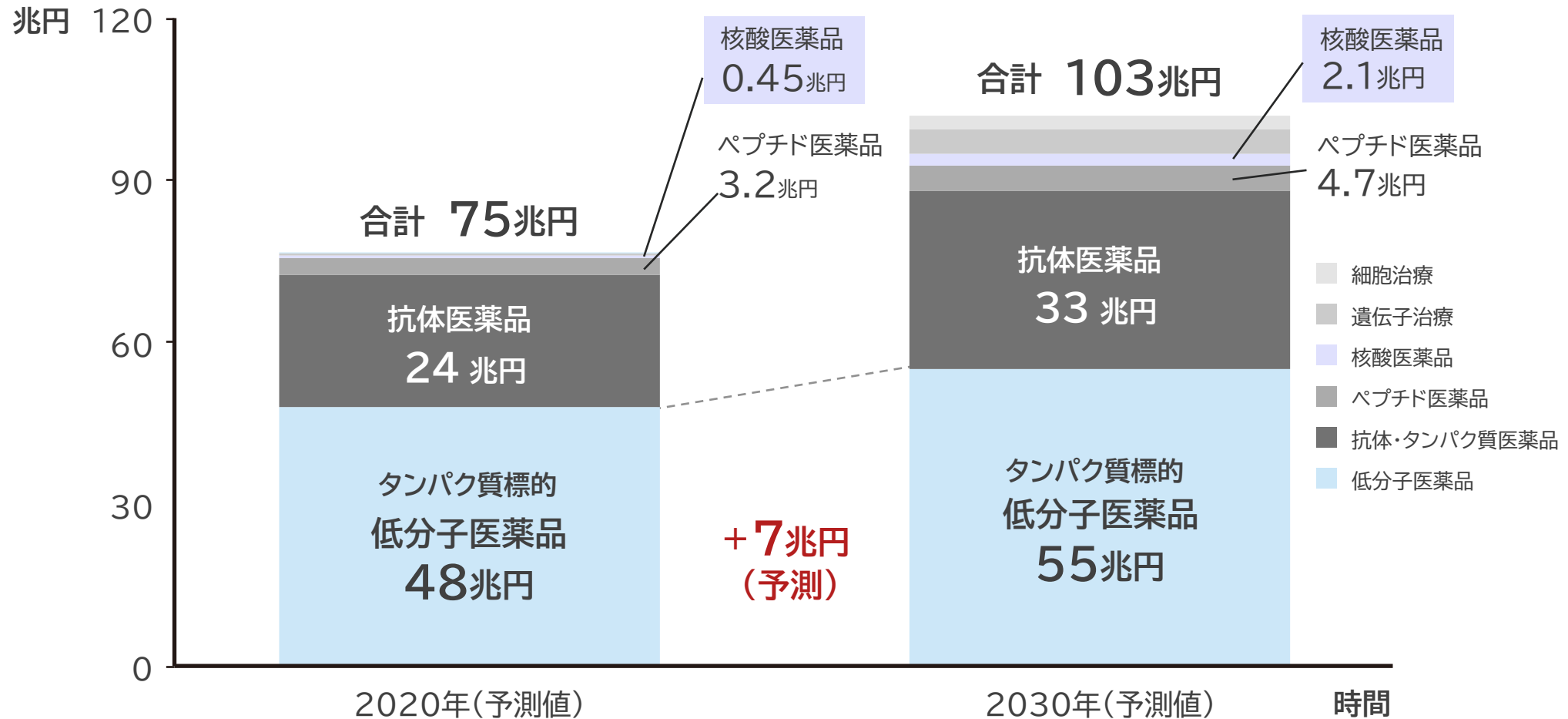
mRNAを創薬標的とすることで、従来のタンパク質標的創薬では技術的に創薬不可能な疾患に新たな治療の可能性を提供。



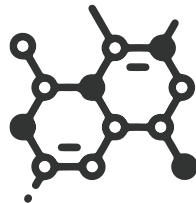
出典: The Human Protein Atlas, DrugBank, KS analysis, 2018
をもとに当社にて作成

低分子医薬品・核酸医薬品の市場予測

低分子医薬品の市場は成熟期にあるが、今後も一定の成長が見込まれ、2030年においても医薬品市場全体の半分以上を占めると予測されている。核酸医薬品の市場規模は、今後最も高い成長が見込まれている。



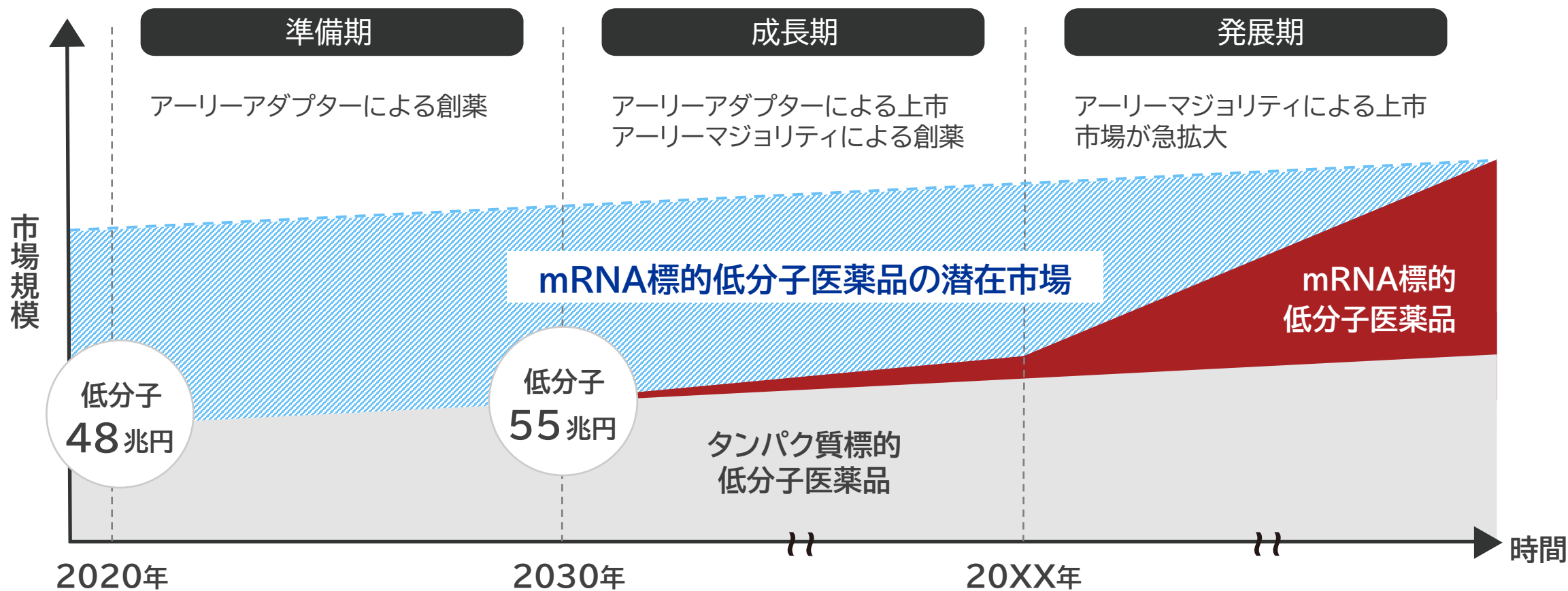
医薬品業界は製造業。科学的に優れた創薬技術であっても、医薬品の大量製造やコストに問題があれば商材とならず市場は形成されない。経口投与が可能で患者様の負担も小さい低分子医薬品は、製法が確立されており製造コストも極めて低い。

医薬品の種類		中分子医薬品・バイオ医薬品			
		低分子医薬品	ペプチド医薬品	核酸医薬品	抗体医薬品
形状(イメージ)					
分子量		100～500	500～1万	～1万	約10万～
製造	製法	化学合成	化学合成／培養	化学合成／培養	培養
	コスト	低い	非常に高い	非常に高い	高い
創薬標的	タンパク質	○	○		○
	mRNA	※		○	
投与経路	経口	○			
	その他	○	○	○	○

※ 現時点、本創薬で上市された医薬品はないが、当社技術を含むmRNAを標的とする低分子創薬技術の出現で本創薬は実施可能「○」になり、低分子医薬品市場の再成長の起爆剤となる。

mRNA標的低分子医薬品の潜在市場: 将来的に大きな市場形成を期待

上市後の発展期には、タンパク質標的低分子医薬品に匹敵する大きな市場の形成が期待される。



出典: 当社推定

低分子医薬品の市場規模は、内閣官房 健康・医療戦略室委託事業「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」より抜粋

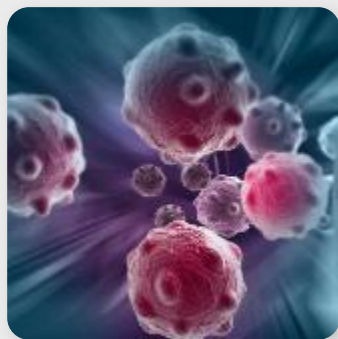
同業他社はパイプライン型で主に既知のターゲット構造を創薬対象とするのに対し、当社はプラットフォーム型で多種多様なターゲット構造を創薬対象としている。

会社名	ビジネスモデル	提携先	提携サイズ(注)	疾患領域
14Si Veritas In Silico 設立2016年	プラットフォーム	東レ(2021年) 塩野義(2021年) ラクオリア創薬(2022年) 武田薬品(2023年)	1,144億円 提携総額	がん領域, 中枢神経疾患, 感染症, その他
Arrakis Therapeutics 米国 設立2015年	パイプライン	Roche (2020年) Amgen (2022年)	371億円 契約一時金 (n/a) 提携総額	非開示
Ribometrix 米国 設立2014年	パイプライン	Vertex (2019年) Genentech (2021年)	2,443億円 提携総額	非開示
Anima Biotech 米国 設立2014年	パイプライン	Eli Lilly (2018年) 武田薬品 (2021年) AbbVie (2023年)	3,914億円 提携総額	がん領域, 自己免疫疾患, 中枢神経疾患

(注) 1USD= 140円として換算
出典:Crunchbase及び各社ウェブサイト情報をもとに当社にて作成

aibVISは様々な疾患に適用可能。特に低分子医薬品が望まれるがん領域・中枢神経疾患への期待が集まる。

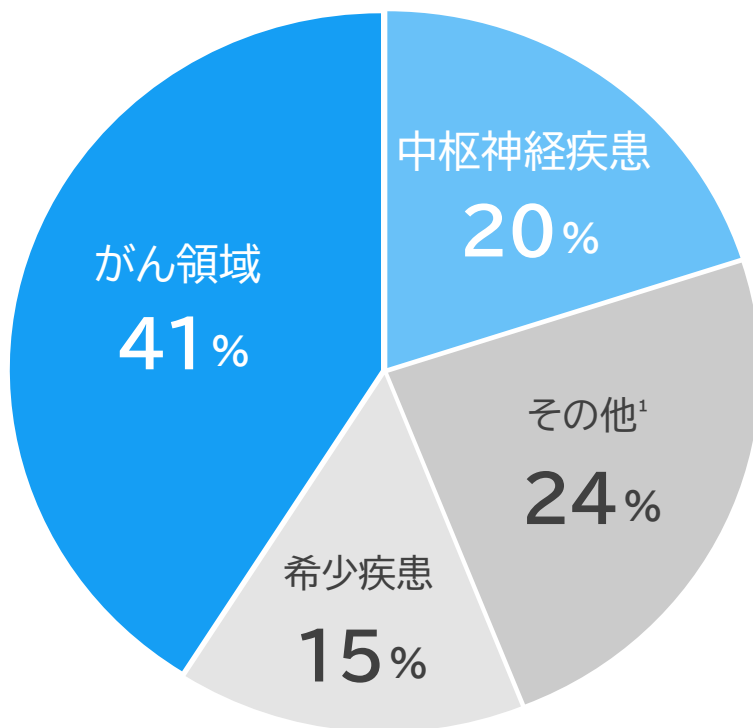
期待領域 ①



がん領域

従来のタンパク質標的創薬では治療できないがんが多く存在する。患者数が多いため、大量供給可能な低分子新薬の開発が望まれる。

創薬対象遺伝子からわかる疾患領域²



¹ 循環器疾患、免疫疾患、感染症などを含む。

² 2025年9月末現在において製薬会社から開示された創薬対象遺伝子に基づき当社にて作成

期待領域 ②



中枢神経疾患

脳(中枢神経)では、血液脳関門(BBB)により抗体医薬品等がブロックされてしまうため、中枢神経疾患の治療にはBBBを通過する低分子医薬品が有効である。

既存契約による収益ポテンシャル

短期から長期まで契約に基づく収益を確保し、上市後のロイヤリティ収入も期待。

契約一時金・研究支援金・ 研究マイルストーン（短期収益）



- 取得済収益（～2025年12月）
- 短期的収益（創薬研究期間中に受領可能性）

開発マイルストーン （中期収益）



- 中期的収益（開発期間中に受領可能性）
- 長期的収益（販売期間中に受領可能性）

売上マイルストーン （長期収益）



2025年12月末現在

- 新規契約による収益拡大

（注）取得済総額は、共同研究により取得した収益を含む。マイルストーンは、いずれも既存のプロジェクトが全て成功した場合の最大値を示している。
創薬の成功確率は相対的に高くはなく、現実的に全てのプロジェクトが成功するわけではない点に十分留意が必要である。

バイオテック主導の創薬研究トレンドを捉え、当社プラットフォームを起点としたパイプライン創出を推進

創薬研究トレンド

- 大手製薬会社による開発は縮小傾向にある
- 2021年時点で、臨床開発パイプラインの約6割をEBPが占める
- 大手製薬会社主導から、バイオテック主導の創薬構造へとシフトする動きが速い

当社の戦略方針

- 短期収益に偏らず、将来価値につながる「自社持分の高いプロジェクト」を実現
- 事業開発の方針
 - 創薬研究が比較的旺盛な欧州と日本に事業開発の重点を置く
 - バイオテックとの共同のパイプライン創出
 - 大手企業で作ることが多い農薬にも参入を図る
- 研究の方針
 - 自社関与度の高いパイプライン構築
 - パイプラインの開発に利用できるDDSの早期実用化

調査報告書: 創薬のオープンイノベーションの潮流
CRDS-FY2023-RR-05 JST研究開発戦略センター 2023年12月

IQVIA

EBP企業は、推定の年間研究開発費が2億ドル未満、グローバル全体の売上が5億ドル未満と定義。

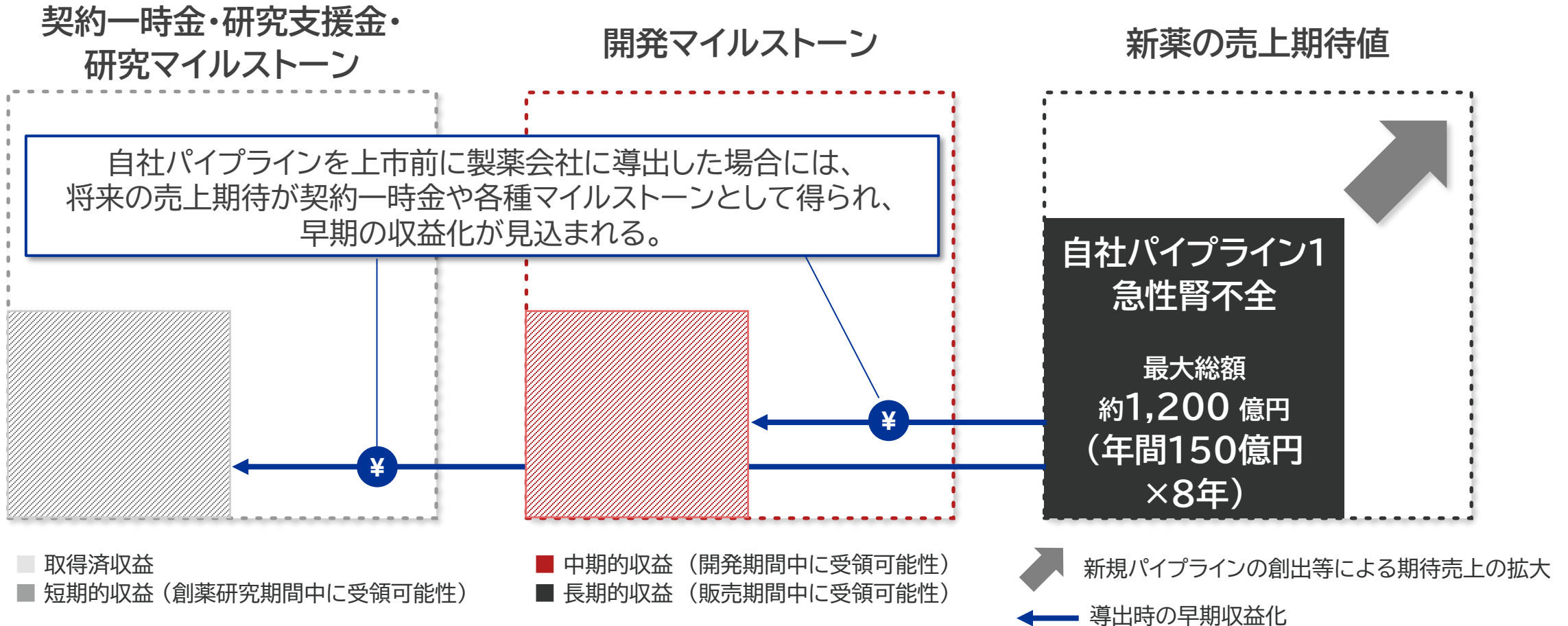


出典：Emerging Biopharma's Contribution to Innovation, Jun 13, 2022

Source: Cyteline Trialtrave, Apr 2022; IQVIA Institute, May 2022.

自社パイプラインの収益ポテンシャル: 将来価値の積み上げに寄与

自社パイプラインの創出は、将来の売上期待値がそのまま自社の収益として見込めるため、当社の株主価値に寄与する。



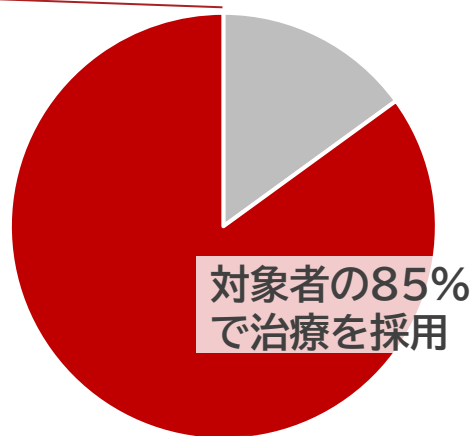
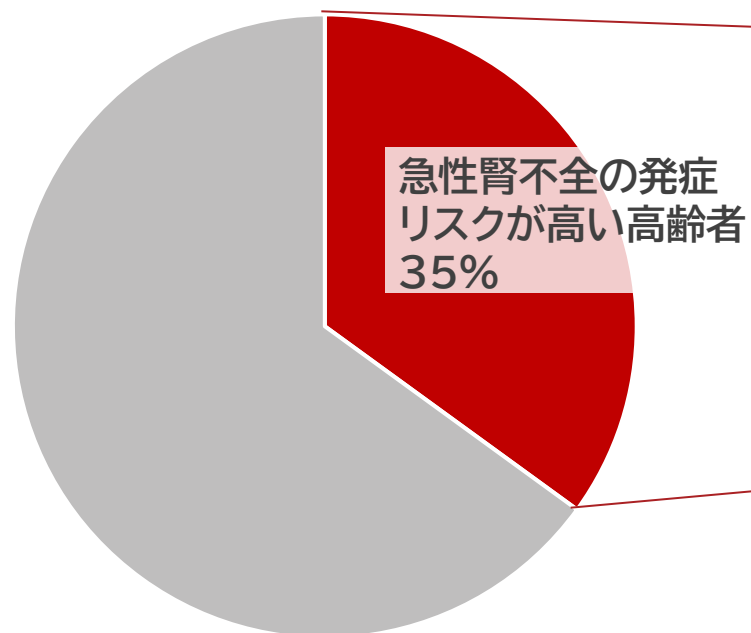
(注)取得済総額は、共同研究により取得した収益を含む。マイルストーンは、いずれも既存のプロジェクトが全て成功した場合の最大値を示している。創薬の成功確率は相対的に高くはなく、現実的に全てのプロジェクトが成功するわけではない点に十分留意が必要である。

心臓血管手術後に発症する虚血性急性腎不全には、現在有効な予防法がない。予防薬が実現されれば、患者さまの術前・術後のQOL向上に大きく貢献。

プレスリリース: [2025.12.22 mRNA標的核酸医薬品自社パイプライン特許出願のお知らせ](#)

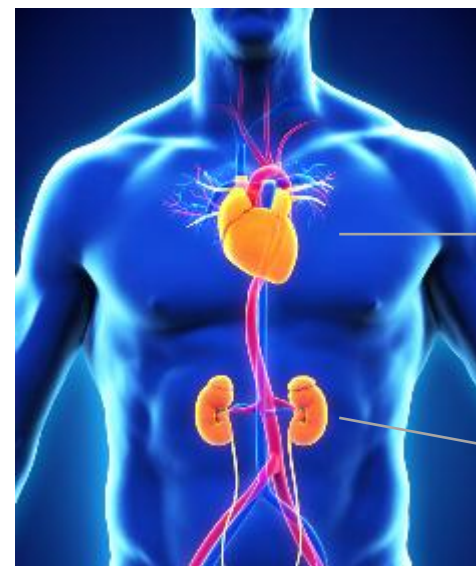
日本国内における心臓血管手術
約 50,000件/年

日本国内における予防対象
約 14,900件/年



ピーク時売り上げ
年間売上約150億円

※薬価100万円を想定



心臓の血管手術では、
一時的に血流を止めるため、
虚血により臓器が損傷する。

虚血の影響を受けやすい
腎臓が損傷し、
急性腎不全を引き起こす。

将来的には、さらなる売り上げ拡大を目指す

- 1) 国外展開の推進
- 2) 発症リスクが高いご高齢の患者さま以外への提供
- 3) その他の虚血性疾患に対する適応拡大

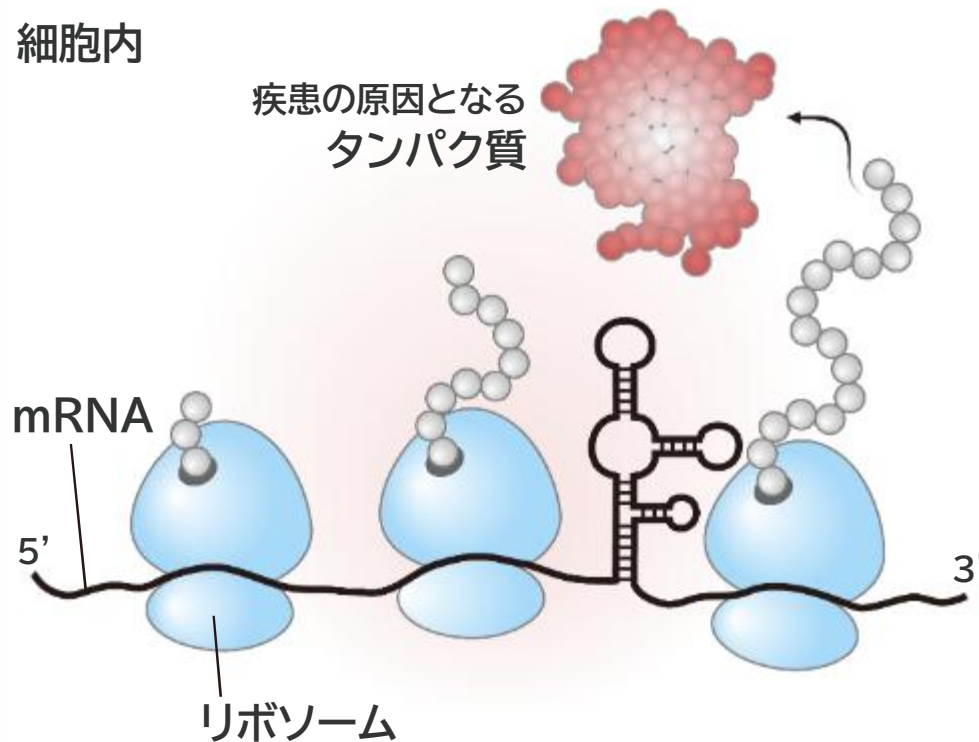
本核酸医薬は、当社の高活性でありつつシンプルなECM型ASOの最初の実例となる



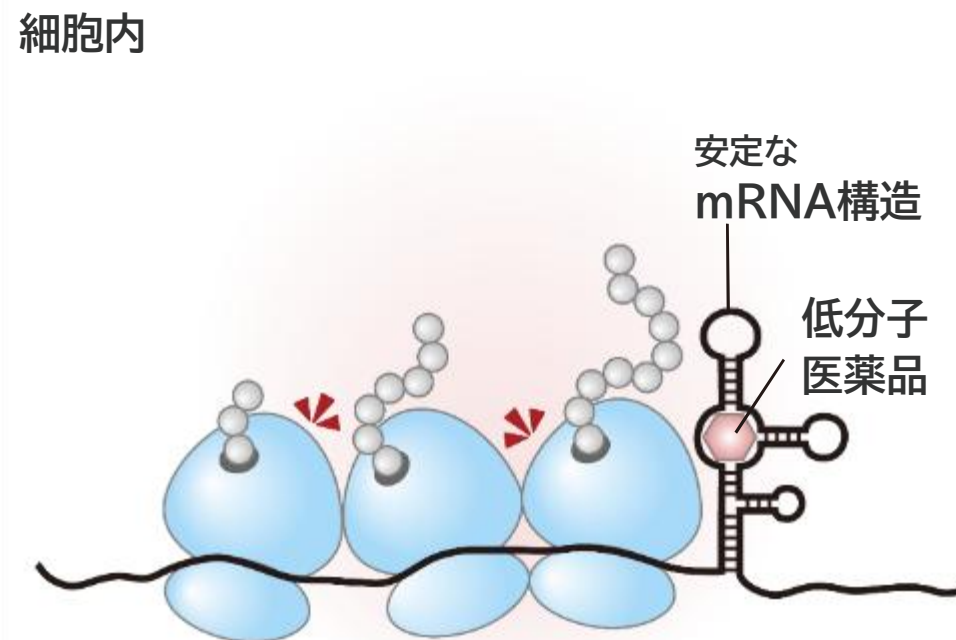
- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク

低分子医薬品がmRNA構造を安定化し、リボソームによるタンパク質翻訳を阻害し、疾患関連タンパク質の合成を停止させる。汎用性の高いメカニズムでさまざまな疾患へ適用可能。

低分子医薬品なし

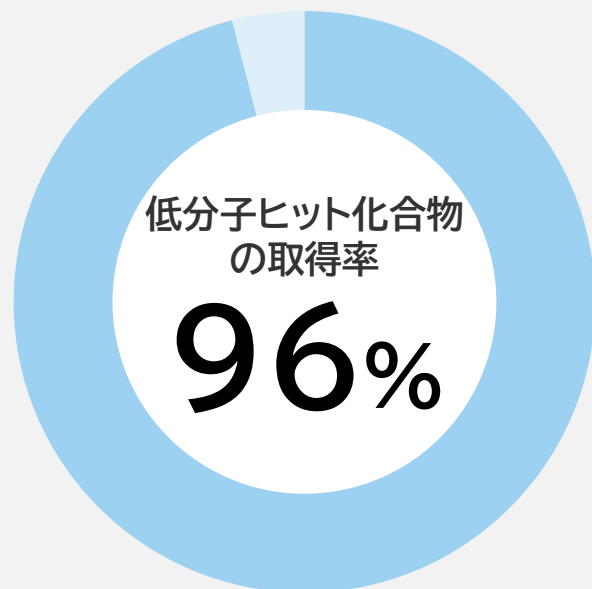


低分子医薬品あり



製薬会社との共同創薬プロジェクトで、がんや中枢神経疾患など幅広い領域を対象にスクリーニングを実施し、96%の成功率でヒット化合物を取得。これにより蓄積したデータを活用し、スクリーニングの効率化システムを開発。

独自の技術でスクリーニング
ヒット化合物 96%の成功率



50以上のmRNAターゲット構造に
対してスクリーニングを実施した結果
(2025年12月末現在)

AISLAR Screening Workflow



*KNIME H2O package was applied for machine learning tasks.

スクリーニングプロセスの効率を2～3倍向上。
少ない実験量でも、効率よく低分子ヒット化合物を得ることが可能に。

日本の技術力を結集し、世界最高水準のリード化合物最適化を実現

RNA構造解析とスパコンによる相互作用解析を融合、mRNA標的低分子化合物の合理的な最適化を実現する。

RNA に特化した
構造解析技術



RNAのX線結晶構造解析とNMRという
稀有な専門知識を持つサイエンティストに
より、当社にはRNAの3次元構造決定を
行うための技術が備わっている。

画像:Freezed XRD.jpg by Wikimedia
Commons (CC BY-SA 4.0)

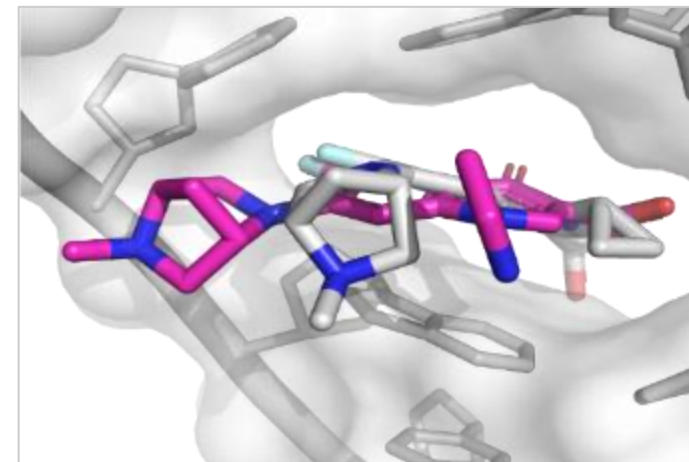
mRNA標的構造-低分子化合物の
相互作用解析技術



日本製の最先端のスーパーコンピュータ「富岳」
を駆使して、mRNA標的構造と低分子化合物
の相互作用を徹底的に解析できる。

画像提供:理化学研究所

合理的な
mRNA標的化合物最適化

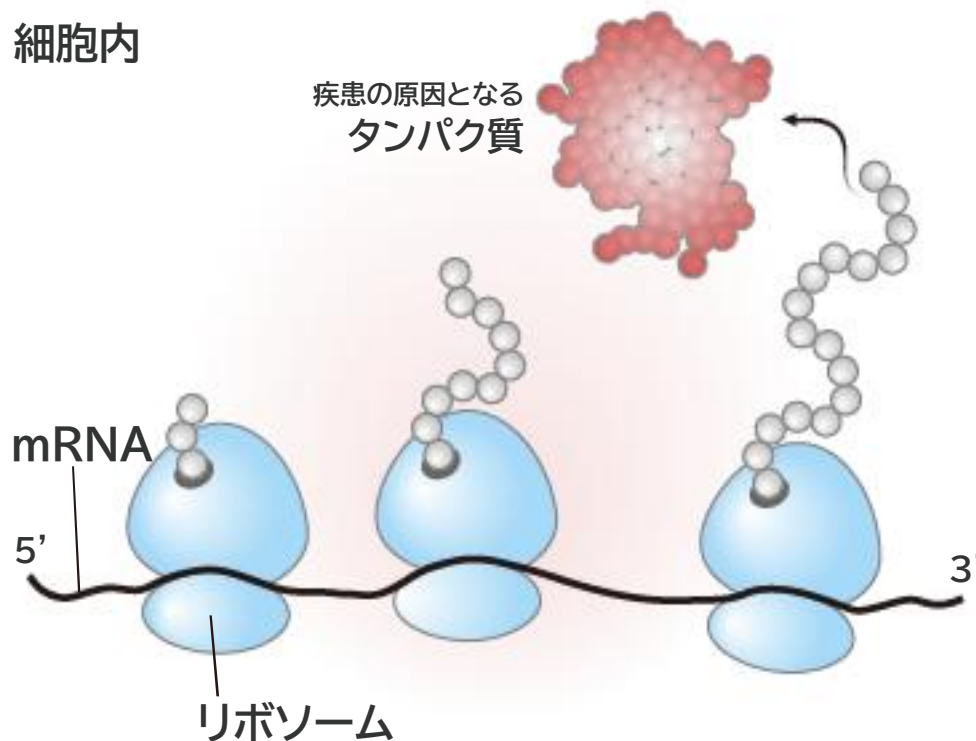


当社の技術は、mRNA標的に対してより
高い活性と選択性を持つ低分子化合物を
合理的に設計することを可能にする。その
結果、従来の方よりも迅速かつ効率的に
低分子化合物を最適化することができる。

標的mRNAに結合した核酸医薬品(ASO)はRNase H※に認識され、mRNAが分解されることでタンパク質の合成を阻害する。汎用性の高いメカニズムでさまざまな疾患へ適用可能。

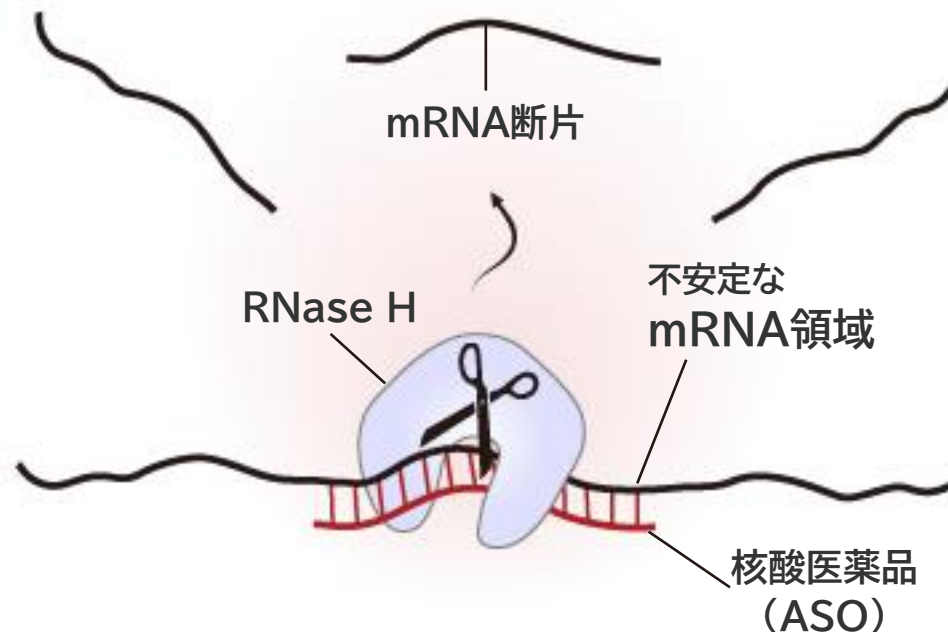
核酸医薬品なし

細胞内



核酸医薬品あり

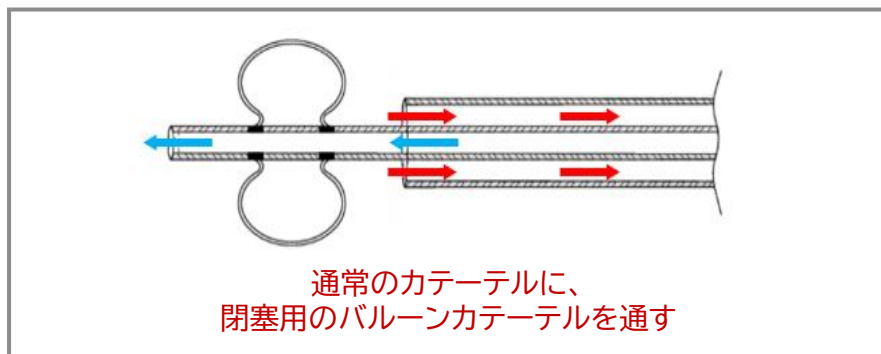
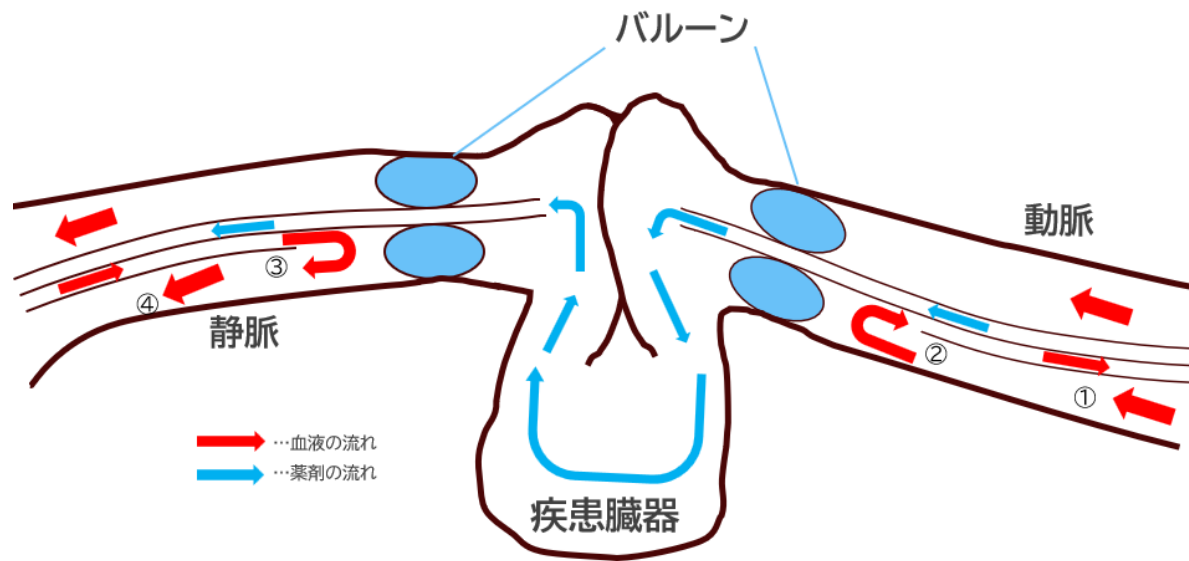
細胞内



※RNase H: mRNAを分解する酵素

患者さまの疾患臓器に、動脈側と静脈側からそれぞれカテーテルを挿入し、体血流を維持しつつ対象臓器を独立させる。対象臓器にのみ医薬品を灌流することで、**治療効果を最大化しつつ望まない効果を抜本的に低減**させる。

プレスリリース [2025.12.15 当社独自のドラッグデリバリーシステム「Perfusio」特許査定及び権利化手続完了のお知らせ](#)



Perfusioの特徴

腎臓の左右どちらか、肺の左右どちらか、究極的には「肺の一部だけ」といった極めて細やかなデリバリーが可能

- 副作用を気にする必要がなく薬効を最大化できる
- 標的臓器以外に薬剤が到達しない
 - 必要な部位にのみ作用するため、全身への負担が最小限(髪が抜けないなど)
 - 核酸医薬投与時の最大の課題である「肝毒性」の回避が期待できる
- 毒性を最低限にできるので医薬品の臨床試験を簡略化できる可能性がある

P-27

3P-09

1P-27 Design of high-affinity RNA binders using an FMO-calculation-based DMTA cycle

14Si

Koji Imai^{1,*}, Noritaka Kunitomo², Shuhei Miyakawa³, Haruhiko Hattori¹, Amiu Shino¹, Kotaro Ishihara², Ryoko Tanaka², Kaori Fukuzawa², Taichi Kano², Ella Carina Morishita¹

¹Veritas In Silico Inc., ²Graduate School of Engineering, Toyo University of Agriculture and Technology, ³Graduate School of Pharmaceutical Sciences, The University of Osaka

Background

Fragment molecular orbital (FMO) calculations are useful for quantitatively evaluating the interaction energy between RNA and small molecules. FMO calculations were performed on a complex of KG022 with a simple RNA with a bulged-out residue (1, 2). We designed analogs, predicted their binding free energies, and analyzed the interactions by instrumental analysis.

Analog design from KG022

Replacing furine

Introducing a bicyclic structure

Replacing quinoline with naphthalene

Summary

- An integrated MD+FMO calculation approach (2) enabled quantitative affinity prediction and can be applied broadly to diverse analogs.
- This led to the discovery of a new compound exhibiting ten-fold the affinity of KG022.
- This approach is expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

Relaxation of NMR structure



Calculation

Dock compounds using RAdock

Apply k-means clustering and select the central structure

Extract inter-fragment interaction energy (IFE)

Structural analysis

MD simulation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

FE calculation

3P-09 Design and Characterization of Highly Potent and Selective CDK9 Heterobifunctional Degraders

Chunshu Wang^{1,2,3,4}, Muhammad A. Hossain^{1,2,3,4}, John Unger^{1,2,3,4}, Helen Kiang^{1,2,3,4}, Karen Salinger^{1,2,3,4}, Rachel S. Ballester^{1,2,3,4}, David L. Eachus^{1,2,3,4}, Joseph J. Gray^{1,2,3,4}, John Unger^{1,2,3,4}, Helen Kiang^{1,2,3,4}, Karen Salinger^{1,2,3,4}, Rachel S. Ballester^{1,2,3,4}, David L. Eachus^{1,2,3,4}, Joseph J. Gray^{1,2,3,4}

¹Veritas In Silico Inc., ²Graduate School of Engineering, Toyo University of Agriculture and Technology, ³Graduate School of Pharmaceutical Sciences, The University of Osaka

Abstract

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

1. D32 is a potent CDK9 degrader with rapid kinetics

1. CDK9 play Regulation

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

CDK9 is a key component of the positive transcription elongation factor b (P-TEFb) complex, which is essential for the regulation of gene expression. CDK9 is also a potential target for the treatment of cancer. We designed and synthesized a series of CDK9 heterobifunctional degraders, which are expected to facilitate the discovery of high-affinity RNA binders and accelerate the hit-to-lead process.

1

会社概要

2

事業概要

3

技術情報

4

成長戦略

5

財務ハイライト

6

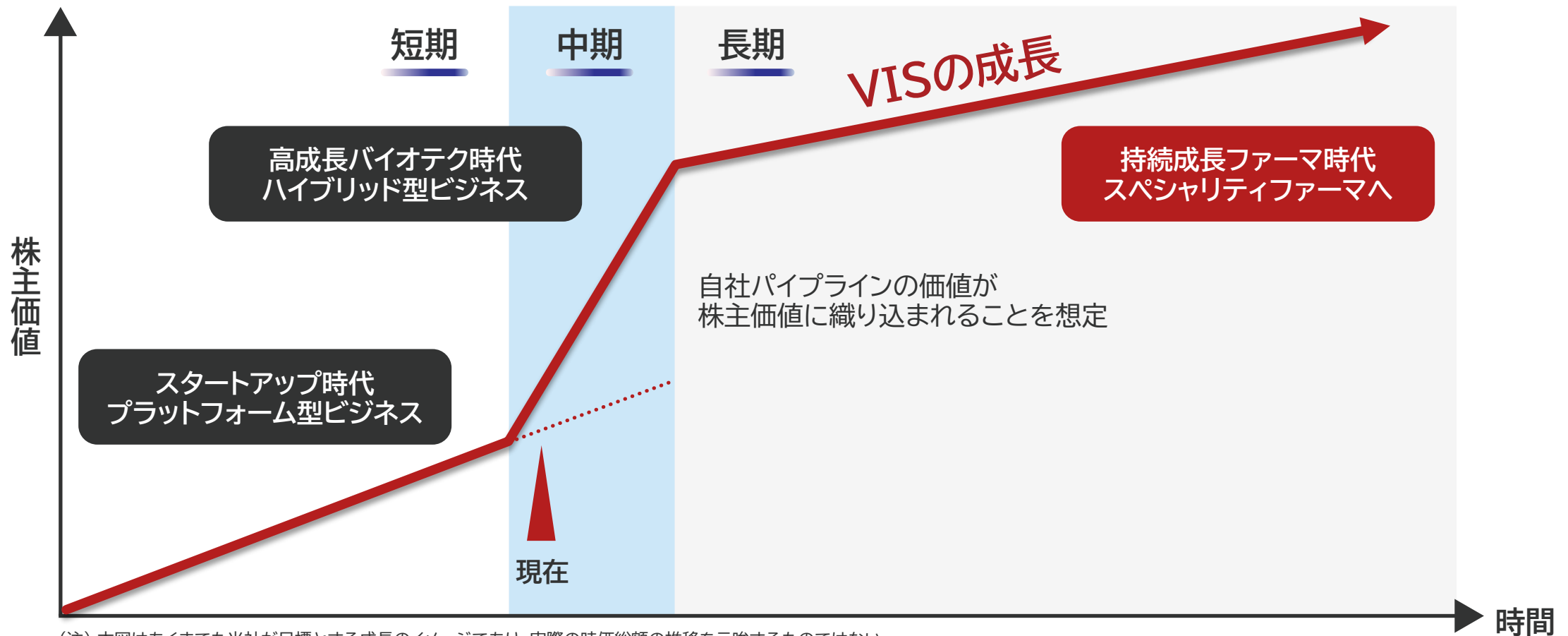
サステナビリティ

7

事業等のリスク

持続成長可能なスペシャリティファーマへ

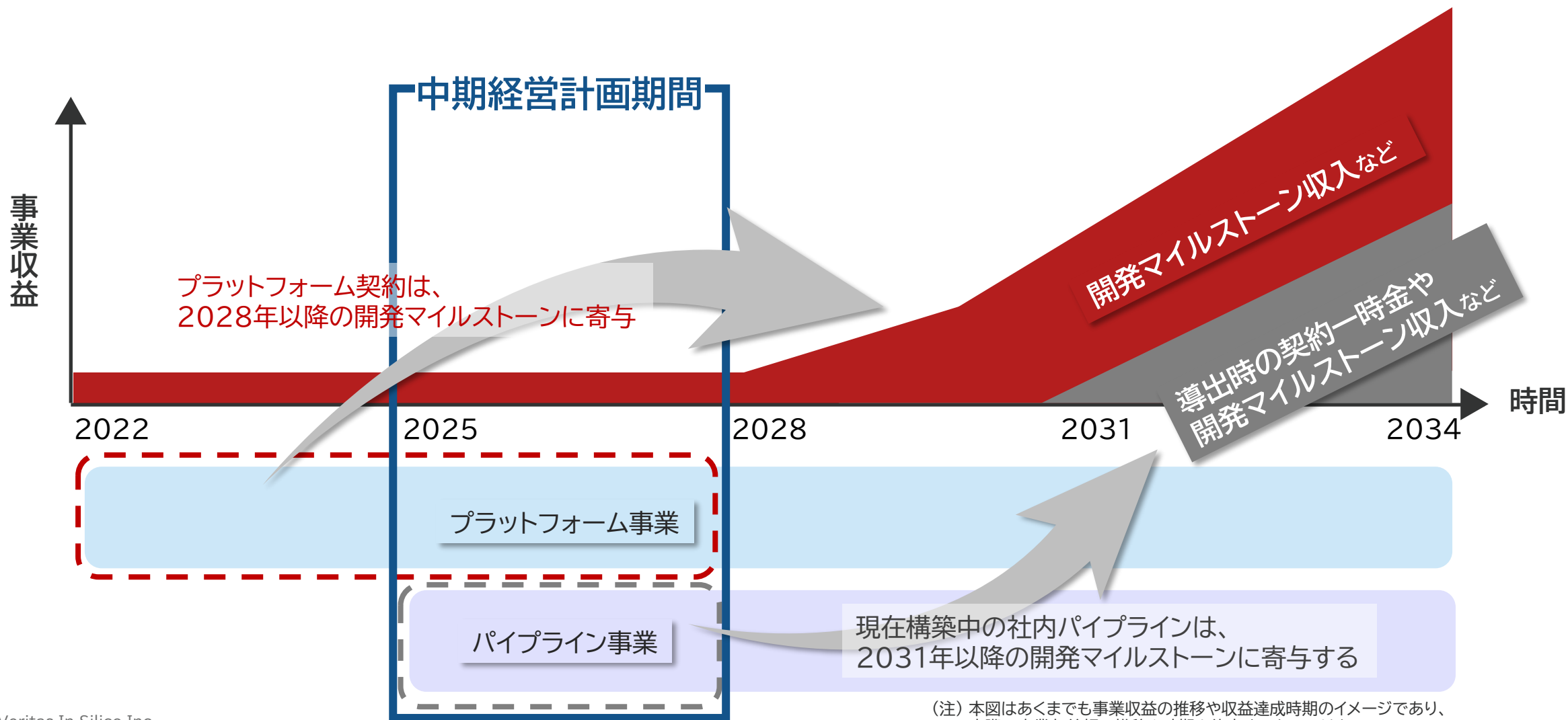
高成長ハイブリッド型モデルを経て、持続成長可能で研究開発・販売機能を備えた製薬会社（スペシャリティファーマ）へ進化。



(注) 本図はあくまでも当社が目標とする成長のイメージであり、実際の時価総額の推移を示唆するものではない。

技術研究・パイプライン創出への投資による将来価値の最大化

中期経営計画期間は、将来の成長のために社内パイプラインの構築に投資する時期。
以降の時期に、過去・現在の投資が、開発マイルストーン収入等の大きな収益に結び付くように設計している。



(注) 本図はあくまでも事業収益の推移や収益達成時期のイメージであり、
実際の事業収益額の推移や時期を約束するものではない。

2030年ビジョンに向けた中期経営計画期間中の各年度目標

【中期経営期間中のKPI】

- ・新規契約締結数¹ 年間目標 **2社**
- ・パイプライン創出数² 年間目標 **1本**
- ・事業収益額³

2025年度 ハイブリッド型 ビジネス始動

- ・新規契約3件締結
- ・パイプライン1本目創出
- ・新川崎研究所移転準備

2026年度

- ・新規契約2件締結
- ・パイプライン2本目創出
- ・パイプライン1非臨床試験の開始
- ・DDSの事業化開始
- ・新川崎研究所移転完了

2027年度

- ・新規契約2件締結
- ・パイプライン3本目創出
- ・非臨床試験対応

2030年度

スペシャリティファーマ
としての地歩を確立

¹ プラットフォーム事業の進捗を測定する目安とします。

² 自社創薬研究成果の特許申請をもって「パイプラインの創出」とカウントします。

³ プラットフォーム事業とパイプライン事業の進捗のバランスを測定する目安とします。

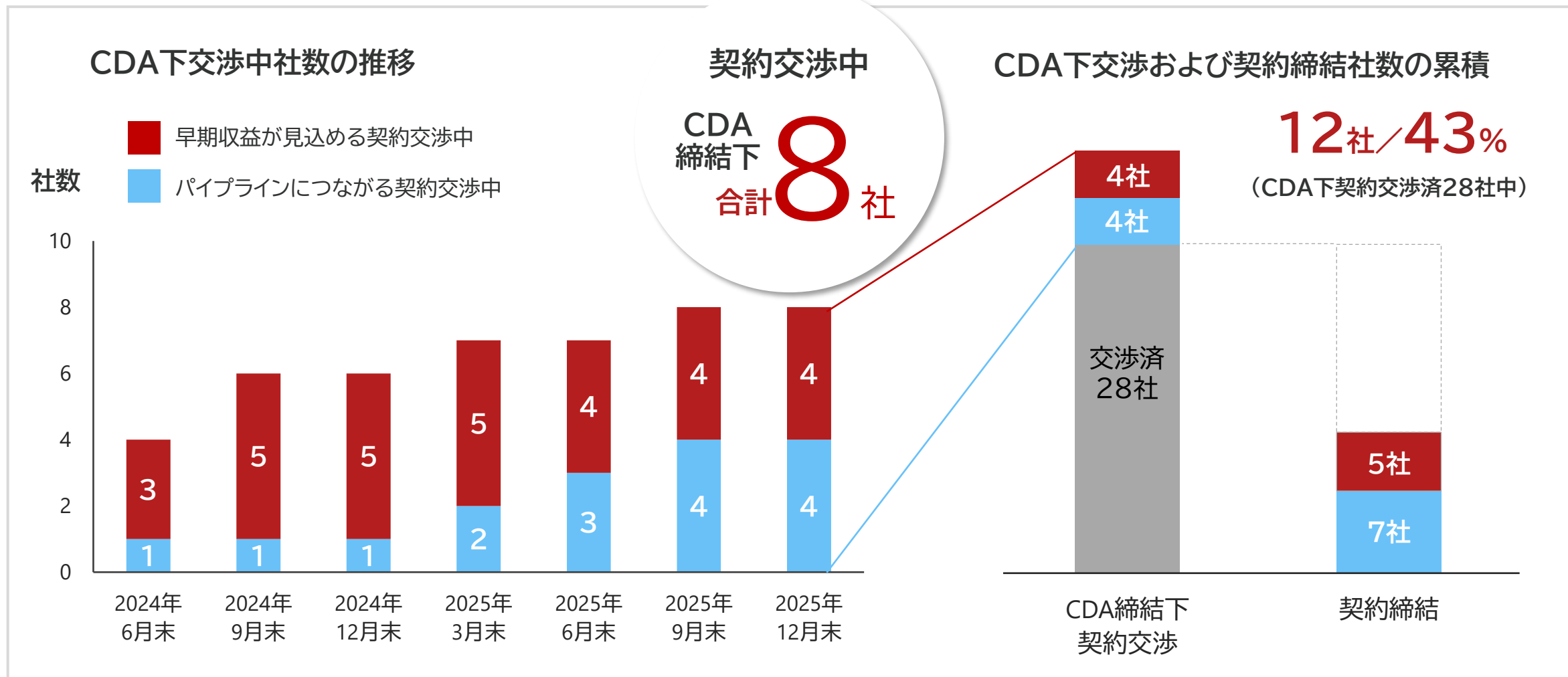
各製薬会社との共同創薬研究を通じて積み上がる実績と高まる専門性

mRNA標的的低分子創薬で製薬会社4社との協業が進行中。研究実務を通じて、各社各様の創薬アプローチを体得、専門性を継続的に向上させている。

主な提携先	提携時期	対象疾患	創薬研究進行段階	経済条件
 Innovation by Chemistry	2021年7月	非開示	 製薬会社との共同創薬研究で最も進んでいるプロジェクトは「リード化合物創出」の段階	・ 契約金非開示 ・ VIS化合物持分あり¹
 SHIONOGI	2021年11月	感染症 精神・神経系疾患		・ 契約金最大850億円 ・ ロイヤリティあり ・ Q2マイルストーン達成
 RaQualia Innovators for life	2022年12月	がん領域		・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり ・ 対象遺伝子の拡大
 Takeda	2023年6月	非開示		・ 契約金非開示 ・ ロイヤリティあり

秘密保持契約数を確保し、早期収益化が見込める契約締結を目指す

2026年以降も、適切な秘密保持契約(CDA)数を確保し、1件の早期収益が見込める契約を含む年2件の締結を目指す。8件のうち3件は欧州企業。引き続き海外展開を進める。



核酸医薬品パイプライン候補：市場価値の高い物質を優先して社内パイプラインに

希少疾患を中心に、2025～2027年のパイプライン候補となる核酸医薬品プロジェクトが複数推進中。

	ターゲット探索	スクリーニング	ヒット to リード	リード化合物最適化
核酸医薬品				
パイプライン1 急性腎不全： p53 ASO		特許第6934695号 核酸医薬とその使用		
		特願2025-266856 標的転写産物の発現量の減少剤		
パイプライン2(予定) 未公表b w/ 三菱ガス化学				
筋萎縮性側索硬化症(ALS)： TDP-43 MP20 ASO w/ 慈恵会医科大学		特願2025-178583 核酸医薬とその使用		
筋萎縮性側索硬化症(ALS) w/ 慈恵会医科大学		特願2025-575964 核酸医薬とその使用		
未公表a				

核酸医薬品の課題を解決して希少疾患治療の切り札に

核酸医薬品の課題は、1) 毒性、2) 製造、3) 魅力的な事業(疾患)領域 と認識。
当社は以下の方針と施策により課題解決を図り、希少疾患治療への治療機会の提供を目指す。

	解決すべき課題	これまでの解決方針	これからの施策
毒性	未知のリスクを 第三相試験に持ち越さない 核酸医薬品の持つ毒性 を低減する	シンプルなASO	シンプルなままで、薬効等の向上を 実現させた「 ECM型核酸医薬品 」 (2025年12月 特許出願済み)
製造	商業生産時の 製造コストの低減		三菱ガス化学との協業にて、 QbD を採り入れ、高品質かつ低コストな 核酸医薬品の製造方法を開発する
魅力	製薬会社が魅力を感じる 疾患領域に、核酸医薬品 を創出する	マーケット志向による 治療可能な疾患領域へ 魅力的な医薬品候補の 創出	ドラッグデリバリーシステムの活用 により あらゆる臓器に治療の可能性を提供、 ユニークな疾患領域に向けて 製薬会社が魅力を感じる核酸医薬品を創出

当社の新型ASOモダリティECM型は、シンプルなままで高活性

当社が考える核酸医薬品は、未知のリスクを低減しつつ高活性な医薬品。

日本の研究者・企業における多様な知見を統合、簡素化することで新たな核酸医薬品モダリティを完成させた。

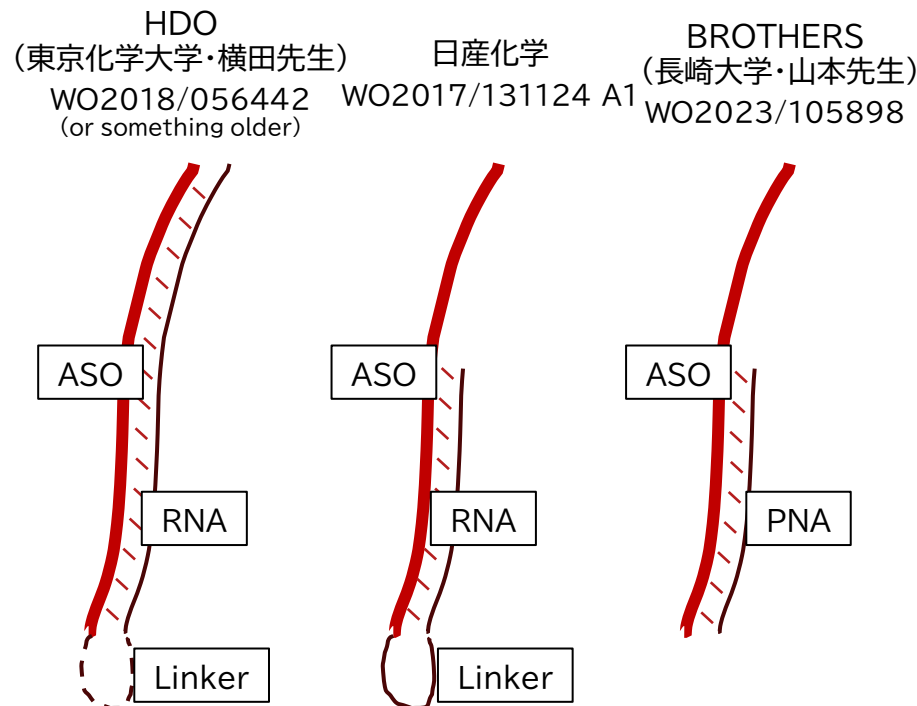
プレスリリース [2025.12.22 mRNA標的核酸医薬品自社パイプライン特許出願のお知らせ](#)

ECM型ASOのポイント

- ECM(Extraordinary Curated Modulation)は当社が独自に設計した核酸医薬品コンセプト
- 単なる既存のASOとは異なり、**高い活性と薬効が期待できる設計原理によるシンプルな2本鎖構造**の核酸医薬品
- 拡張性や効率を意識した**新しい設計コンセプト**で、従来の核酸医薬品設計の課題(安定性、製造・精製の難しさ、未知の毒性リスクなど)への解決策を目指す

	通常の核酸医薬品(ASO)	ECM型核酸医薬品
設計	既存のモダリティに基づく	当社独自の設計コンセプト
特徴	活性はターゲット依存	シンプルで強い作用設計
課題	二本鎖補強等で複雑	課題点を回避した設計
狙い	既存のターゲット制御	高活性と低リスクの両立

ASOとヘテロ分子の2本鎖構造の例 (過去の参考事例)



当社Noteでもご紹介しております。

[核酸医薬品の新設計 —ECM型ASOで“シンプルなのに強い”を実現 | 中村 慎吾 | Veritas In Silico](#)

核酸医薬パイプラインの共同事業：QbDの取り組みへの第一歩



2025年度より三菱ガス化学との核酸医薬品の創出・製造方法確立をめざした共同研究を開始。QbDにより高品質かつ低コストな核酸医薬品の製造方法を開発。

プレスリリース [2025.07.03 三菱ガス化学との核酸医薬の創出及び製造方法確立を目的とする共同研究契約締結のお知らせ](#)



目的	RNAを標的とした核酸医薬(ASO)の創出と製造方法の確立
共同研究期間	3年間
技術基盤	Veritas In Silicoの創薬プラットフォーム「ai b VIS」を活用
役割	VIS: ASOの創出(設計、取得、検証) 三菱ガス化学: 製造方法の確立
特徴	QbDを創薬研究の初期段階から導入し、迅速な臨床試験への移行を目指す



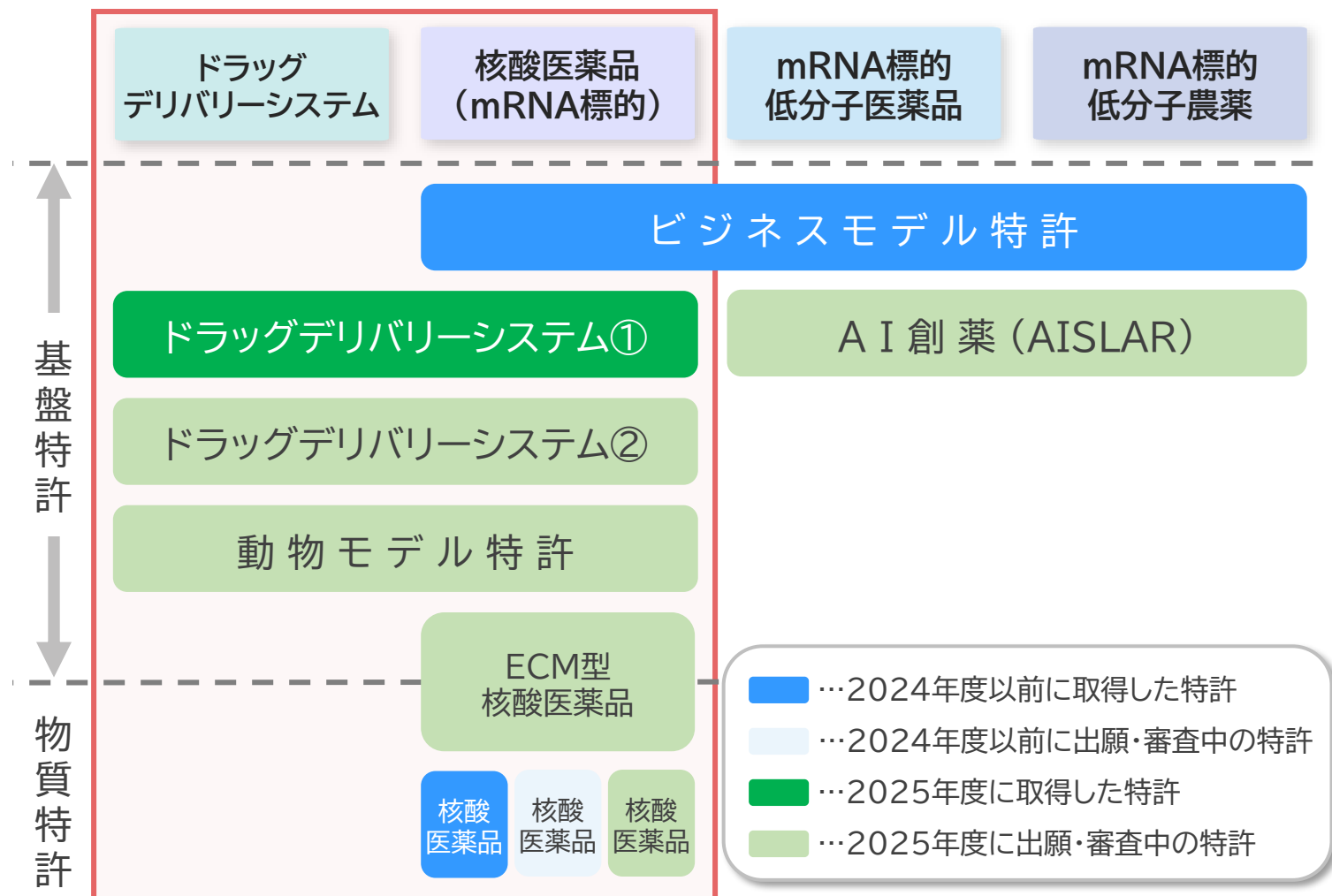
製造後の核酸医薬品のイメージ

- VIS初の核酸医薬創薬の事業化を実現
- 2025年度のKPIとして設定している「新規契約4件締結」の2件目
- 開発候補ASO化合物を取得できた場合、自社パイプライン2本目の創出となる

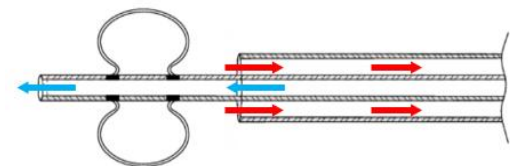
ドラッグデリバリーシステム事業の位置づけ

Perfusioによる新たな治療法を実現し、自社パイプライン価値および収益機会拡大を目指す。

究極的には医薬品を対象臓器のみに届け、全身への暴露を避けることで臨床試験の抜本的な短縮と低コスト化を目指す。



- 自社パイプラインの開発に活用:投与量を削減した低コストの腎不全予防薬を迅速に実現できる可能性
- 既存の医療機器の組み合わせで実現できるため、早期に医療現場に届けられる可能性が高い
- 実用化と事業化を2026年より本格的に進める
- 製薬会社へのライセンスアウトも視野にされる



通常のカテーテルに、
閉塞用のバルーンカテーテルを通す

核酸医薬品のような高価で高活性な医薬品については、対象臓器に正しく届くためのドラッグデリバリーシステムが必要である。当社においてはPerfusio を社内で利用してだけでなく、ライセンスアウトによる収益化も目指していく。

体制構築

1

- 新規カテーテルPerfusio をパートナー医療機器メーカーと、全身どこに対しても利用できるような汎用の医療機器として、製造販売体制を整える

一般化

2

- Perfusio を使ったドラッグデリバリーシステム(DDS)を広める
 - VISと共同研究を実施する太田先生による成果の外部発表を積極的に進める
 - 「Perfusio を用いて、(全身投与で認可されている)既存の医薬品を使う」お医者さんの手技・手術の場合は臨床試験がいらないことから、臨床現場で自由に使用可能とする
 - 臨床現場では、臓器灌流の特許に触れるものの許容し、当社はライセンス料を取らない方針とする

当社での利用

3

- Perfusio をはじめてから利用する治療用医薬品を創出する
 - 自社パイプラインについて、「Perfusio を用いた新規の医薬品を使った新規臓器灌流治療」の実現を目指す
 - マイクロドーズ毒性試験だけで、臨床試験を不要とする医薬品承認の道筋を目指す

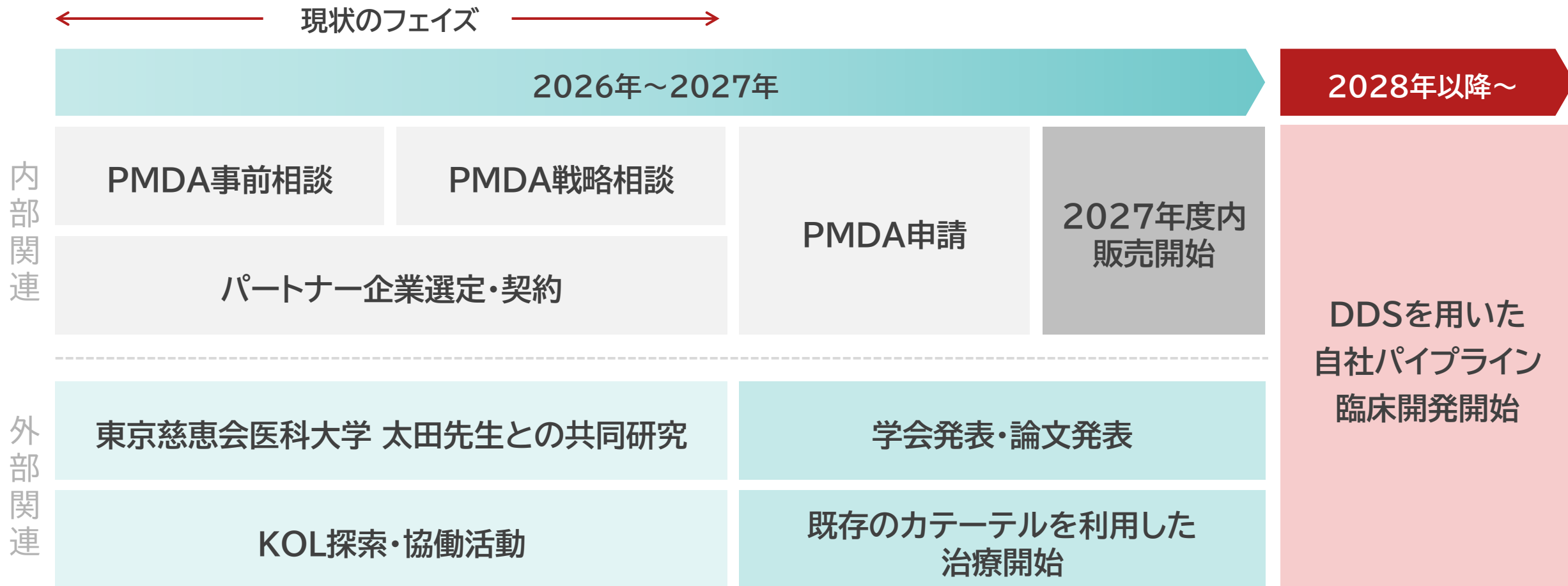
さらなる収益化

4

- Perfusio 利用の医薬品開発を希望する製薬会社から臨床試験時等にライセンスアウトする

Perfusio 実用化のタイムライン: 中期経営計画中の販売開始を目指す

Perfusio の最短実用化と業界への露出を並行推進し、既製品を利用した治療実績を通じて導入体制を整える。
これにより、中期経営計画期間後の自社核酸医薬品の臨床試験への利用を目指す。



Perfusio の将来展望 ①: 当社核酸医薬品への適用

Perfusioを活用し、当社初のパイプライン1の臨床試験への利用を検討中。
投与量削減による低コストの腎不全予防薬を、迅速に患者様に提供することが可能となる。

	現状の技術的課題	これまでの対処法	Perfusioによる解決策
投与量	投与量が多いことは、コストに影響を与え、医療を受けられる患者様の数が減る	できるだけ活性を増強する	活性を増強するだけにとどまらず、腎臓にだけ高濃度の医薬品を送達・回収することで、投与量を抜本的に減少させる (1回の治療費を大幅に削減する)
副作用	副作用の可能性がある	副作用が出にくい容量での全身投与	全身に回らないために副作用が出にくく、さらに医薬品の濃度を上げられるため効果も高められる。 結果的に、治療が奏功する患者様を増やせる
期間	臨床試験期間が長い	なし	全身に医薬品が回らなければ重厚な臨床試験の必要がなくなる可能性があり、大幅な試験期間の短縮とコストダウンが見込める

従来デリバリーが不可能であったさまざまな臓器へのアプローチを可能とし、これまで核酸医薬品の適用が進んでこなかった臓器・疾患に対して、差別化された核酸医薬品の創出機会を提供。

従来手法における課題

身体的負担が大きい手術:

最も死亡数の多いがんである肺がんは、手術の際の患者への身体的負担が大きい

適切な医薬品が存在しない:

肺、脾臓、ぼうこう、眼球
(および腎臓、肝臓)等への適切な医療

経済的負担:

高価な医薬品の利用による治療は
経済的負担が大きい

Perfusio 適用による優位性

身体負担が少なく肺にだけ医薬品を
送達・回収することで
手術以外の有望な選択肢を提供

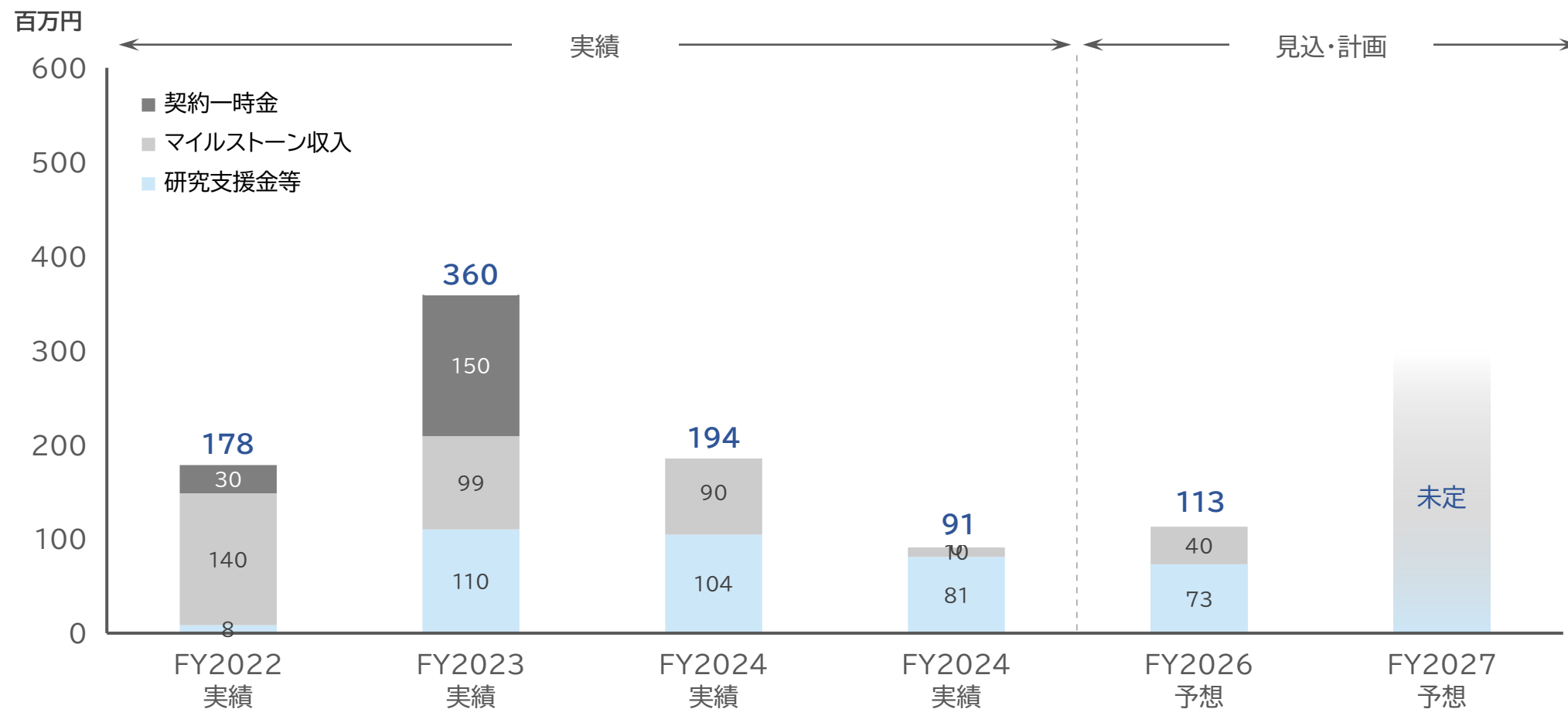
疾患臓器にだけ医薬品を
送達・回収することを利用して、
これまでにない医薬品を実現する

疾患臓器にだけ送達・回収するので、
全身投与に比べ投与量を大幅に減らせるため、
高額な医薬品による経済的負担が減る

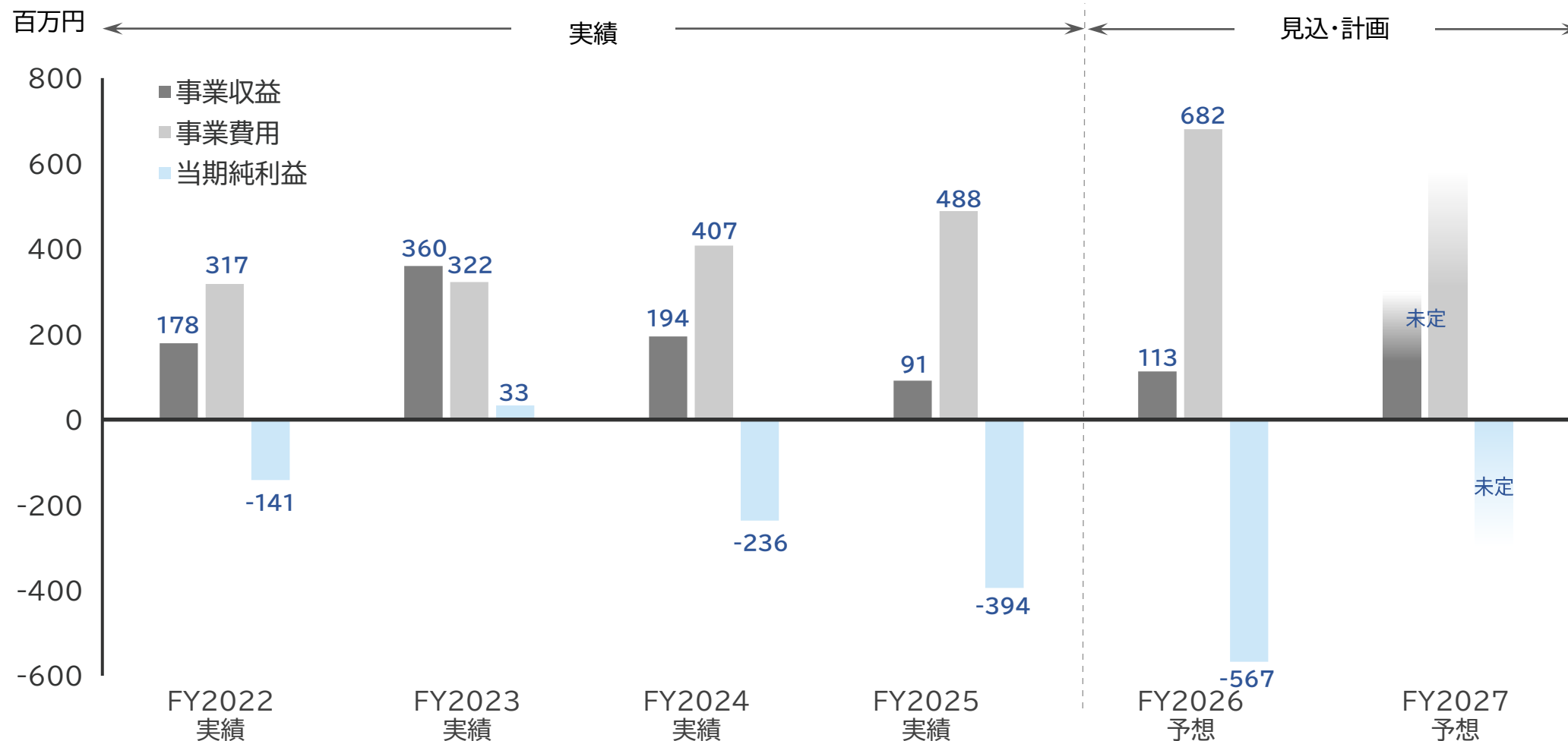
これらを可能とする Perfusio による「対象臓器にのみ医薬品を送達・回収する」というスキームを、
DDSとして製薬会社へライセンスアウトすることが、Perfusioの主要な収益化モデルの一つ



- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク



2026-2027年度は、自社パイプライン創出のための投資を行う。



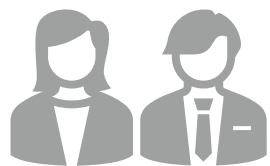
(注)計画の数値は未定

四半期業績の推移(FY2023Q3～FY2025Q4)

(要約)四半期会計期間損益計算書 (単位:百万円)

QoQ	FY2023 Q3	FY2023 Q4	FY2024 Q1	FY2024 Q2	FY2024 Q3	FY2024 Q4	FY2025 Q1	FY2025 Q2	FY2025 Q3	FY2025 Q4
事業収益	29	81	32	83	49	29	24	19	22	25
事業費用	80	83	97	85	104	120	105	124	124	134
営業利益	△51	△2	△65	△1	△54	△91	△81	△105	△101	△108
営業外損益	△1	0	△22	0	0	1	1	1	1	1
経常利益	△53	△1	△87	△1	△54	△90	△79	△103	△100	△107
当期純利益	△53	△2	△87	△2	△55	△90	△79	△104	△101	△140

スペシャリティファーマへの道のりを実現に向けた社内基盤整備のため、人的資本の拡充、研究開発の推進、設備拡充・更新、マーケティング等の成長投資をすすめる。



人的資本の拡充

スペシャリティファーマ
への変革を目指して

- 専門的人員の増強
- ガバナンス体制の整備
- ベースアップによる
処遇改善

投資済み0.9億円
投資予定3.4億円 / 4.3億円

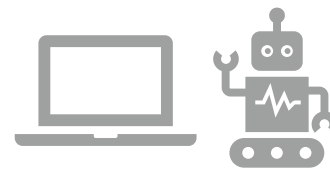


研究開発の推進

自社パイプラインの創出

- 自社パイプライン創出に
向けた研究
- 知財の拡充
- ドラッグデリバリー
システムの事業化

投資済み0.4億円
投資予定3.5億円 / 3.9億円



設備拡充・更新

自社研究を頑強にするため
の設備増強・計算能力拡大

- 研究所の拡大・移転
- 研究設備の拡充・更新
- 計算能力・AIの増強
- 研究プロセスのDX化

投資済み0.3億円
投資予定0.1億円 / 0.4億円



マーケティング

海外進出による創薬
パートナーシップ拡大へ

- 海外進出
- 事業開発に直結する
研究データの創出
- 国際学会での発表

投資済み0.1億円
投資予定0.5億円 / 0.6億円

*2025年12月時点 *2026年度以降投資予定



- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク

医薬品創出、技術革新、人材育成を軸に、社会・環境の持続可能性に貢献する経営を実践。

事業活動に内在 した取り組み

- 希望に満ちたあたたかい社会
を実現するために
- ◆ 新規の創薬技術で未だ満た
されない医療ニーズに応える
 - ◆ 創薬パートナーと革新的な
医薬品の創出に取り組む

事業基盤を構築 する取り組み

- ◆ 優秀な人材の確保と育成
- ◆ 働きがいのある企業風土
の醸成
- ◆ 人材の多様化と 一人ひとりを
活かす組織づくり
- ◆ 働きやすい職場環境
(年次有給休暇取得の促進)
- ◆ 従業員の健康管理・増進
- ◆ グリーン購入法に沿った購買

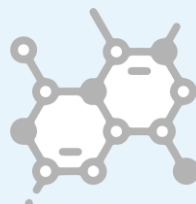
サステナブルな社会の実現 科学技術の持続性 に向けた取り組み

- ◆ mRNAに関するアカデミア
との共同研究を通じた当社の
科学力の向上
- ◆ 大学等教育機関での講義・
講演を通じたアカデミアに
対する貢献

共同研究や講演を通じてアカデミアと連携し、創薬技術革新と科学技術界への貢献を推進。

mRNAに関するアカデミアとの共同研究

- 大阪大学 2件
- 千葉工業大学
- 上智大学
- 東京農工大学
- 甲南大学



mRNA標的
低分子医薬品

- 新潟薬科大学
- 東京慈恵会医科大学 2件
- 島根大学
- Stanford大学



核酸医薬品

教育機関等での講義・講演

毎年実施の講義

- 東京科学大学
- 千葉工業大学

2025年に実施した主な講演・発表

- 日本化学会 第105 春季年会
- 20th Annual Drug Discovery Chemistry
- 第15回次世代モダリティセミナー
- 11th Novalix Conference
- 第52回国際核酸化学シンポジウム
- 8th Annual RNA-Targeted Drug Discovery & Development Summit



- 1 会社概要
- 2 事業概要
- 3 技術情報
- 4 成長戦略
- 5 財務ハイライト
- 6 サステナビリティ
- 7 事業等のリスク

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです。

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
研究開発の不確実性に関する事項 当社はプラットフォーム型ビジネスモデルのため、研究開発の進行が自社のみではコントロールできず、提携先の方針等によって左右される点、現時点でリード化合物最適化までの創薬研究プロセスを完遂した実績がない点がリスクとして挙げられます。これらの研究開発の不確実性が当社の財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性：小 影響度：高	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
製薬会社との共同創薬研究契約に関する事項 各パートナーにおける経営環境の変化や経営方針の変更など当社が制御できない要因によって当該契約が解除された場合、研究が中断・中止・遅延となった場合、相手先の事情により共同創薬研究契約が締結できなかった場合も想定され、その場合には当社の事業戦略や事業計画が変更となり、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性：小 影響度：小	当社は複数の製薬会社と複数の創薬研究プロジェクトを実施することで、契約一時金、研究支援金、マイルストーン等の多様な収益を獲得してリスクを分散し、軽減するよう努めております。
同業他社との競合に関する事項 当社の創薬プラットフォームは、mRNA標的的低分子創薬に必要な技術群をワンストップで提供し、特にターゲット探索に強みがありますが、競合する他社技術の発生により、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性：小 影響度：中	当社は引き続き、新技術の開発等を通じて創薬プラットフォームの技術力強化に努めます。

その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください

成長の実現及び事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスクは以下の通りです。

事業遂行上の重要なリスク	影響度等	リスクへの対応
知的財産権の出願・取得について 当社は事業運営上必要な特許権等の知的財産権の出願・取得を進めておりますが、現在出願中の全ての知的財産が登録査定を受けられるとは限りません。また、登録後も異議申立てや無効審判請求により、権利の一部又は全てが無効化されるなどの可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は専門分野の弁理士・弁護士と連携し、リスクの軽減に努めております。
mRNA標的低分子医薬品市場の成長可能性に関する事項 創薬標的がmRNAであることによる毒性リスクなどが顕在化したり、mRNA標的の低分子医薬品以外の有力な次世代創薬の開発等による医薬品市場におけるmRNA標的の低分子医薬品の位置づけが変化したりすることにより、想定どおりにmRNA標的の低分子医薬品市場が拡大しなかった場合や、共同創薬研究に係る提携先が想定どおりに見つからなかった場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は当該市場が引き続き成長すると見込んでおり、今後も継続的に業界動向の情報収集に努め、経営環境の変化に応じた事業運営を行う方針です。
資金繰りに関する事項 当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針ですが、適切な時期に資金調達ができない場合及び投資に比べ収益が小さい場合には、当社の事業、財政状態及び経営成績に影響を及ぼす可能性があります。	発生可能性:小 影響度:小	当社は自社創薬研究の要否及び今後の契約締結状況を鑑み、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針です。

その他のリスクについては、有価証券届出書書の「事業等のリスク」をご参照ください



理念

mRNA標的創薬で 希望に満ちたあたたかい社会の実現を

創薬のブレイクスルーを実現し、
スペシャリティファーマ
を目指す

どんな疾患の患者さまも
最適な治療が
受けられるように



Veritas In Silico



Appendix



Webサイト: [株式会社 Veritas In Silico](#)



Note: [中村 慎吾 | Veritas In Silico | note](#)



X(Twitter): [株式会社Veritas In Silico【公式】\(@VeritasInSilico\) / X](#)



LinkedIn: [Veritas In Silico Inc. | LinkedIn](#)

用語	解説
核酸医薬品	DNAやRNAといった遺伝情報を司る物質「核酸」そのものを利用した医薬品であり、従来のタンパク質を標的とする低分子医薬品や抗体医薬品では狙えないmRNA等を創薬標的とすることができる。分子量は低分子医薬品と抗体医薬品の中間にあたり、中分子医薬品とも呼ばれる。商業製造法が確立途中であるため、製造コストは、高額と言われる抗体医薬品よりもさらに高額となる。また抗体医薬と同様に、主に注射により投与される。
研究／開発	医薬品の研究開発とは、新しい医薬品を市場に投入するまれの一連のプロセスをいう。そのうち、研究(創薬研究、基礎研究)は、当社がaibVIS®プラットフォームにより技術提供が可能な「ターゲット探索」「スクリーニング」「ヒット化合物検証」「リード化合物最適化」に至る医薬品候補化合物を取得するまでのプロセスであり、開発は、医薬品候補化合物取得後の非臨床試験、臨床試験に加え、承認申請及び規制当局の承認を含む非臨床試験以降の全てのプロセスである。
合成展開	低分子医薬品の創出を目的として、低分子化合物を多数合成していくことをいう。具体的には、スクリーニングでヒットした低分子化合物等を基点に、目的(活性の向上、薬物動態、毒性の低減等)に合うように新たに構造が類似した低分子化合物を多数設計し、有機化学的に合成して用意する。この新たに用意された低分子化合物に対し各種の試験を行い、より目的にかなう低分子化合物選択し、その化合物を基点として合成展開は続けられる。このサイクルは、低分子医薬として十分なプロファイルを持つ化合物が得られるまで続けられる。
抗体医薬品	体内に「抗体」を投与することで治療効果を得ようとする医薬品の総称。標的分子にピンポイントで作用させることができるため、高い治療効果と副作用の軽減が期待できる。一方、抗体医薬品は製造工程が複雑で品質の管理が難しいため、製造コストが高く、薬価が高額となる。また核酸医薬品と同様に、現在は注射によってのみ投与されている。
低分子医薬品	一般的に分子量が500以下の医薬品。飲み薬や貼付薬など様々な投与方法に展開することが可能である。また製造は化学合成によるため、品質の管理が容易であり、また商業製造法が確立されているため、抗体医薬や核酸医薬品等と比べて極めて安価である。そのため最も一般的に流通し、医薬品市場の約半分を占めている。
データ駆動AI	大量のデータを機械学習・深層学習させて作られたAI(人工知能)
統計力学	統計物理学ともいう。物質を構成する多数の粒子の運動に力学法則及び電磁法則と確率論とを適用し、物質の巨視的な性質を統計平均的な法則によって論じる物理学の分野。当社は、RNAの構造解析にこれら統計力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学	熱力学とは、巨視的な立場から物質の熱的性質を研究する物理学の一分野であり、系全体のマクロな性質を扱う理論である。複雑な系である生物学には当てはまらないとされることが多い。当社は、RNAの構造解析にこれら熱力学の理論を適用できることを見出し、創薬に応用している。
熱力学的測定法	熱力学的測定法は、等温滴定型熱量測定 (Isothermal Titration Calorimetry; ITC)等により、結合分子を標的分子に滴下した際に起こる化学反応もしくは結合反応を観測する測定法。物質同士が結合する際には熱の発生もしくは吸収が起こるため、熱量変化を観測することにより、物質同士の結合を定量的に解析することができる。
ヒット化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、ヒット化合物は、創薬の初期のスクリーニングで発見された活性化合物のことを示す。
医薬品候補化合物	医薬品候補化合物は、リード化合物を化学合成によりさらに改善したものであり、当社の創薬研究ステップの最終成果物である。医薬品候補化合物は、動物等を用いた非臨床試験にて、その有効性と安全性を国際的な基準の下で確認した後、最終的に、ヒトを対象とした試験(臨床試験)に用いられる。臨床試験の結果を規制当局に申請後、審査を経て承認されると医薬品となる。
分光学的手法	物理的観測量の強度を周波数、エネルギー、時間などの関数として示すスペクトル(測定結果の成分を、量の大小によって並べて、解析しやすくしたもの)を得ることで、対象物の定量あるいは物性を調べる研究手法である。日本語では「光」という漢字を使うが、必ずしも光を用いる測定法のみが分光学的手法ではない。

用語	解説
リード化合物	創薬で用いられる用語。本書においては、リード化合物は、ヒット化合物の次の段階の化合物であり、ヒット化合物を基礎に化学合成により手が加えられ、その活性が動物などで確認される等、ヒット化合物より良好な物性を示す化合物のこと。さらに、活性、溶解度などの物性、毒性、飲み薬にした場合に化合物が吸収されるかなど(薬物動態)の点を化学合成によりさらに改善する基礎になる化合物。ただし、その基準は各製薬会社でさまざまである。
リボソーム	数本のRNA分子と50種類ほどのタンパク質で構成される巨大なRNAとタンパク質の複合体。大小2つの部分に分かれており、それぞれ 50Sサブユニット、30Sサブユニットと呼ばれる。あらゆる生物の細胞内に存在し、mRNAに転写された遺伝情報を読み取ってタンパク質を合成(翻訳)する機構として機能する。
量子化学	理論化学(物理化学)の一分野。主として分子や原子、あるいはそれを構成する電子などの振る舞いを、シュレディンガー方程式といった根源的な理論にもとづく数値計算によって解くことにより、分子構造や物性あるいは反応性を理論的に探究する学問分野である。
ルールベースAI	特定の理論やルールに基づいて作られたAI(人工知能)
ASO	核酸医薬品のカテゴリーの一つ。mRNAに結合して主にタンパク質の合成(翻訳)を制御する働きを持つ。ASOに安定性や機能などを追加することを目的として、様々な化学的な修飾を導入することができる。
BLI	BLI(Bio-Layer Interferometry; バイオレイヤー干渉法)。熱力学的測定法の一つ。核磁気共鳴センサーチップ上に固定した生体分子と、溶液中の分子の相互作用を測定する装置。当社では、構造をとったRNAをセンサーチップ上に固定し、スクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物を流して、両者間の相互作用を測定することに使用している。高速に測定できるほか、ごく微量でも測定可能であることが特徴。
DNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子)のうち、糖の部分がデオキシリボースからなる物質であり、デオキシリボ核酸とも呼ばれる。地球上のほぼ全ての生物において遺伝情報の継承を担う生体高分子である。
ITC	ITC(Isothermal Titration Calorimetry; 等温滴定型熱量測定)。熱力学的測定法の一つ。分子同士が結合する時に発生する微小な熱量変化を計測し、相互作用解析に用いる装置。当社では、RNAとスクリーニングで取得したヒット化合物等の低分子化合物との相互作用を測定することに使用している。一般的に、得られる相互作用の数値は他の手法よりも正確だといわれるが、測定に時間がかかり、多くの試料を要するというデメリットがある。
mRNA (メッセンジャーRNA)	遺伝情報であるDNA配列を写しとって、タンパク質合成のために情報を伝達するRNA。mRNAは、細胞内でタンパク質が合成される際的设计図であり、各タンパク質に対応してそれぞれ個別のmRNAが存在する。
NMR	核磁気共鳴(Nuclear Magnetic Resonance)。分光学的測定法の一つ。磁場を与えられた状態の原子核に外部から電磁波を照射し、特定の電磁波を吸収する現象(共鳴現象)を観測することで、物質の構造的情報などを取得する方法。当社では、RNAの二次構造情報の取得に加え、ヒット化合物等の低分子化合物がRNAに結合する様子や、RNAの三次元構造の解析にも使用している。
QbD	Quality by Designの略。製品設計時から製造した際に品質を担保できることを考慮に入れるという考え方。
qFRET	qFRET(Quantitative Fluorescence Energy Transfer; 定量的蛍光共鳴エネルギー移動法)。当社独自の実験プロトコル、実験機器、データ解析手法を統合することにより、蛍光共鳴エネルギー移動法に定量性を持たせた研究手法。
RNA	核酸(塩基と糖、リン酸からなるヌクレオチドが多数重合した生体高分子。DNAも核酸の一種)のうち、糖の部分がリボースからなる物質であり、リボ核酸とも呼ばれる。生体内において、遺伝情報の伝達など多くの生命現象にかかわっている。遺伝情報を伝達するメッセンジャーRNA(mRNA)、タンパク質の原料であるアミノ酸を運ぶ機能を担う転移RNA(tRNA)、リボソームを構成するリボソームRNAなどに分類される。

本資料は、株式会社Veritas In Silico(以下「当社」といいます。)の会社情報の説明のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国その他の一切の法域における有価証券の買付け又は売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。日本国、米国その他の法域において、適用法令に基づく登録若しくは届出又はこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集又は販売を行うことはできません。

本資料の作成にあたり、当社は当社がその作成時点において入手可能な情報の真実性、正確性及び完全性に依拠し、かつ前提としており、将来情報、外部データ等については、その真実性、正確性及び完全性について、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。

将来の事業内容や業績等に関して本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、「目指す」、「予測する」、「想定する」、「確信する」、「継続する」、「試みる」、「見積もる」、「予期する」、「施策」、「意図する」、「企図する」、「可能性がある」、「計画」、「潜在的な」、「蓋然性」、「企画」、「リスク」、「追求する」、「はずである」、「努力する」、「目標とする」、「予定である」又は将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他の類似した表現を含みます。将来予想に関する記述は、本資料作成時点において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作成しており、これらの記述の中には、様々なリスクや不確定要素が内在します。

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、実際の将来における事業内容や業績等が、将来に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なることとなる可能性があります。したがって、将来予想に関する記述に依拠することのないようご注意ください。

なお本資料は原則として、期末決算発表の時期を目途に毎年更新し、開示する予定です。

お問合せ先：
株式会社 Veritas In Silico
経営企画部 広報IR担当
ir@veritasinsilico.com



Veritas In Silico