



# 事業計画及び成長可能性に関する事項

2022年3月

株式会社ジーエヌアイグループ

アジアならびに世界中の患者の皆様へ新たな希望をお届けします

## 本資料の取り扱いについて

- 本資料に記載されている当社の現在の計画、見通し、戦略などのうち、歴史的事実でないものは、将来の業績に関する見通しです。
- 将来の業績に関する見通しにつきましては、現時点で入手可能な情報から得られた当社経営者の判断に基づいています。実際の業績は、さまざまなリスクや不確実な要素により、これら業績見通しとは大きく異なる結果となりうるため、これら業績見通しに依拠して投資判断を決定することはお控え下さいますよう、お願いいたします。
- 実際の業績に影響を与える重要な要素には、当社グループの事業領域を取り巻く経済情勢、市場の動向、世界情勢などが含まれます。
- 見通しや仮定の数値は、事業の方向性を示すものであるため、端数処理を行っております。

## エグゼクティブ・サマリー

### ✓ 研究開発

#### 北京コンチネント (BC)

**F351**のHBV(B型肝炎ウイルス)に起因する肝線維症の第Ⅲ相臨床試験を2022年1月に開始した。2024年第2四半期に中国国家薬品监督管理局(NMPA)への申請を目標にしております。

**F573**の急性肝不全を対象とした第I相臨床試験を2022年1月に中国で開始いたしました。

#### Cullgen Inc.

NMPAとPROTAC(タンパク質分解誘導キメラ分子)薬剤の事前INDコンサルテーションを開始いたしました。

### ✓ コーポレートファイナンス

- 2021年12月期連結売上収益が過去最高の126.9億円に達しました。
- BCが香港証券取引所のメインボードにH株の上場を申請いたしました。

1. 会社概要
2. 事業概要
3. 成長戦略
4. 当社グループの紹介
5. 市場環境
6. 事業計画
7. リスク情報



## 会社概要

### ■ 本社住所

〒103-0023  
東京都中央区日本橋本町二丁目 2 - 2  
日本橋本町 Y S ビル 3 階

### ■ 設立

2001年11月

### ■ 資本金

10,884百万円 (2021年12月末現在)

### ■ 上場取引所

東証マザーズ (2007年 8月 / 証券コード 2160)

### ■ 事業内容

製薬・販売及び医療機器事業に注力した、  
グローバルなヘルスケア企業

### ■ 取締役 代表執行役社長兼 CEO

イン・ルオ Ph.D.

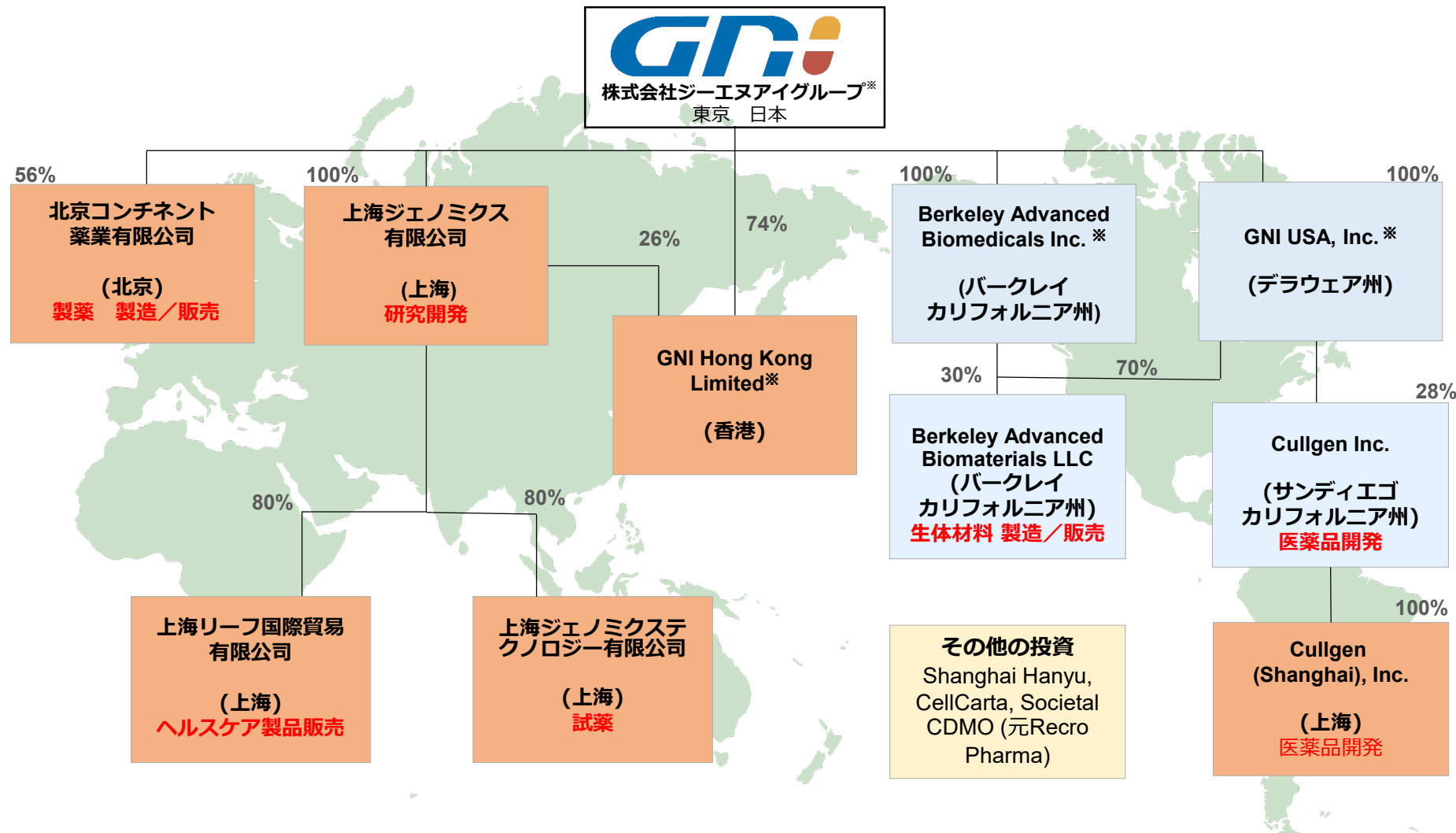
### ■ 社員数 (連結)

正社員629名 (2021年12月末現在)

### ■ 会計監査人

太陽有限責任監査法人

# グローバルな事業展開



※ ホールディング会社  
 ■ 中国/香港 ■ 米国

2022年2月時点  
 注：主要投資先のみ記載しております。

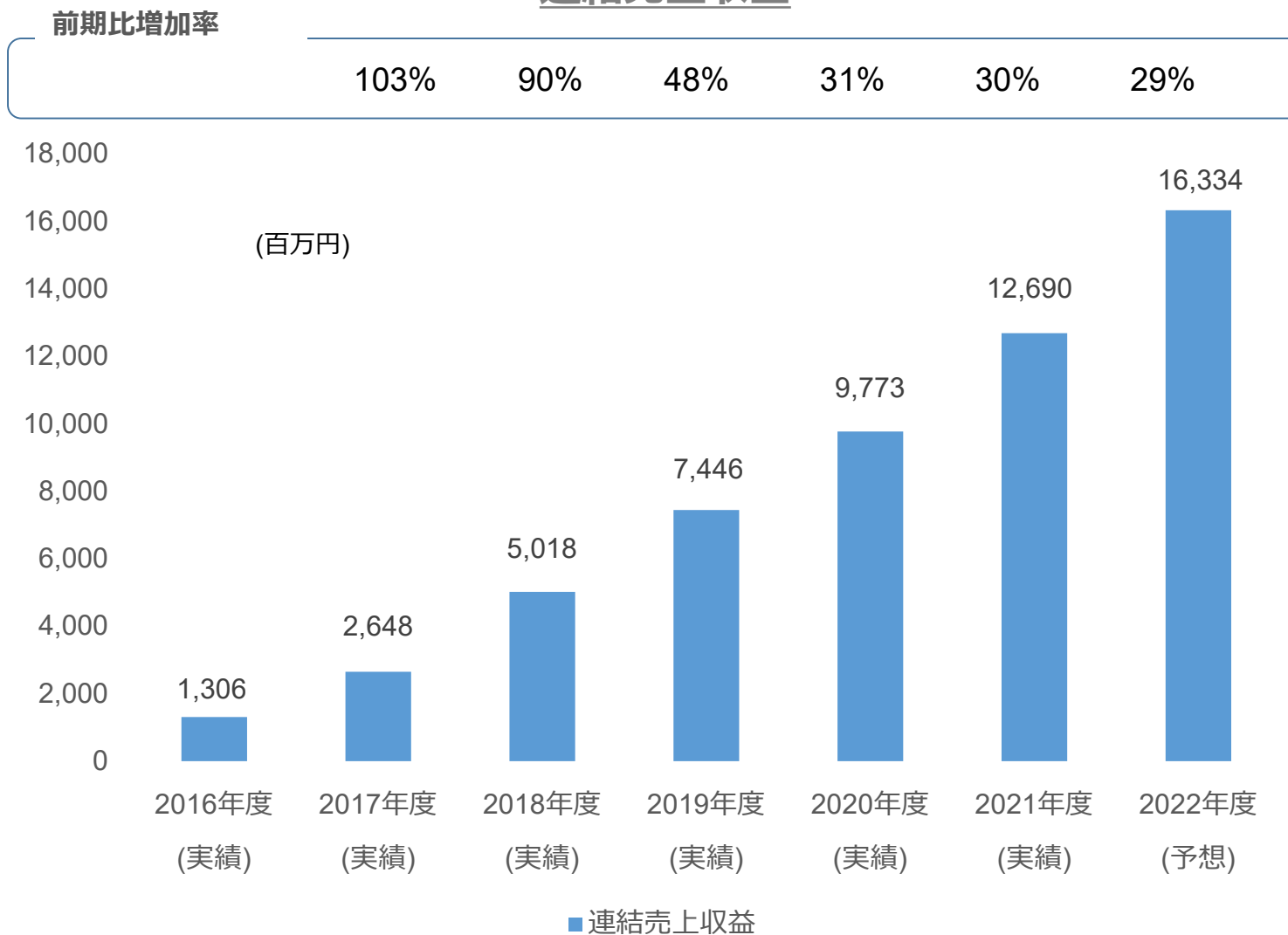
## 当社グループのビジョンと事業概要

### アジアならびに世界中の患者の皆様へ新たな希望をお届けします

- ✓ 当社グループは日本に本社を置き、世界の主要証券取引所である日本市場に上場し、米国と中国において創薬、医薬品開発、生体材料開発、臨床試験、製造及び販売を行っているグローバルなヘルスケア企業です。
- ✓ 中国では、北京コンチネント（BC）にて、肺、肝臓、腎臓の疾病に対する抗線維化治療薬開発をメインターゲットにした、新薬候補物の探索から、臨床開発や医薬品の製造・販売までを一貫して行っています。また、臓器線維症やその他の肺および肝臓の疾病に関わる製品パイプラインを保持しています。米国では、Cullgen が最先端の標的タンパク質分解誘導技術を活用した創薬事業を行っています。BCに関する詳細は、以下の香港証券取引所のウェブサイトにある目論見書をご覧ください。  
<https://www1.hkexnews.hk/app/sehk/2022/104256/documents/sehk22022800504.pdf>
- ✓ 米国における医療機器事業（生体材料）に関しては、Berkeley Advanced Biomaterials（BAB）が、整形外科及びコスメティック領域における生体組織バンク（tissue bank biomaterials）の開発、製造及び販売を行っています。それら製品は世界においてプレミアムブランドの地位を確立しています。更に、米国では、Cullgen が最先端の標的タンパク質分解誘導技術を使ったがん向けの創薬に携わっております。
- ✓ 各国の地利的優位性を活用します。
  - 米国と中国のイノベーション力
  - コスト優位性
  - 世界最大のヘルスケア市場と、最も急成長しているヘルスケア市場の一つへのアクセス
  - 世界の資本市場へのアクセス

# 2022年3月時点での成長トレンド

## 連結売上収益



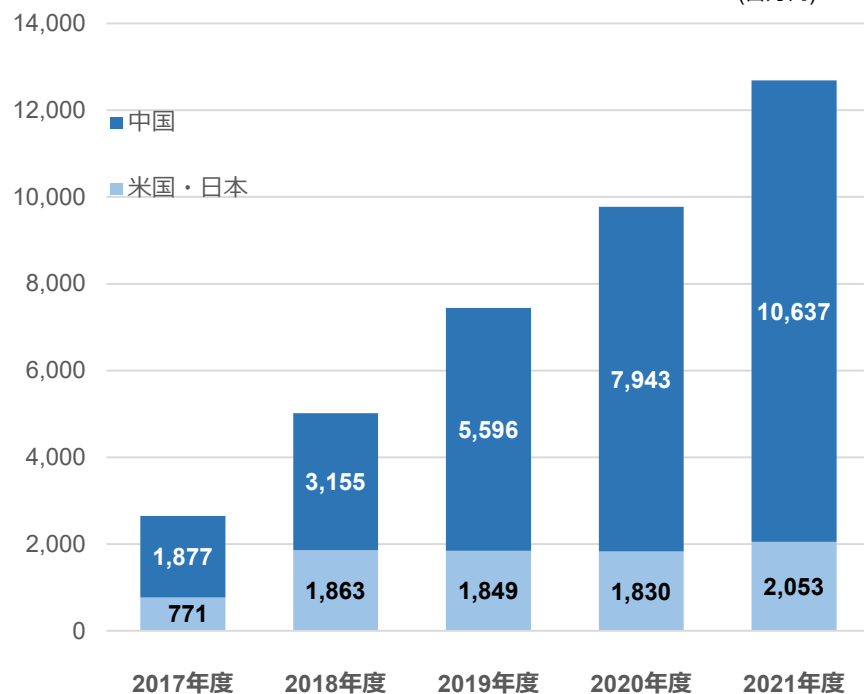


# 地域別業績

中国：多様な事業と自立した財務、米国：研究開発を強力に推進

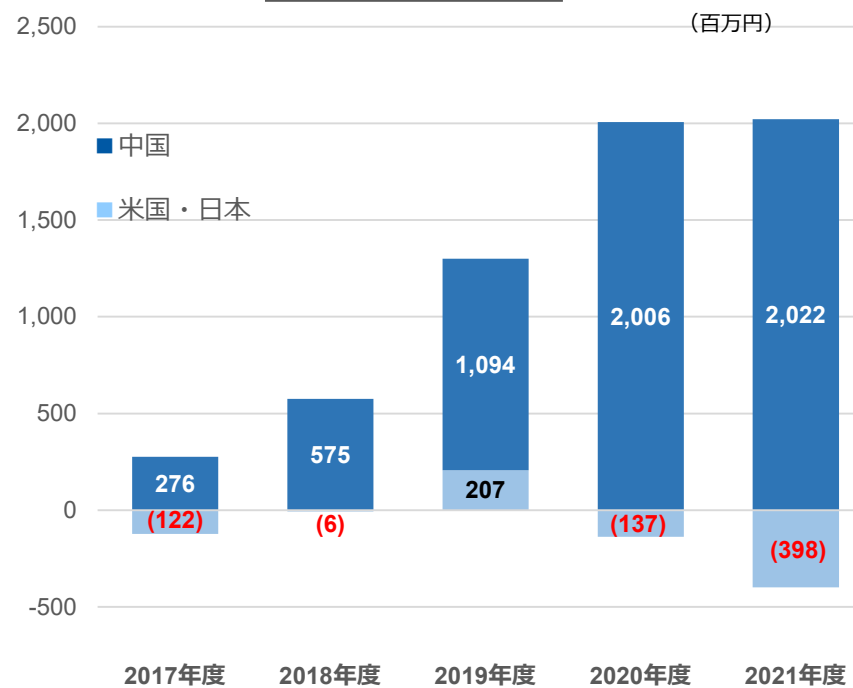
## 地域別売上収益

(百万円)



## 地域別営業利益

(百万円)



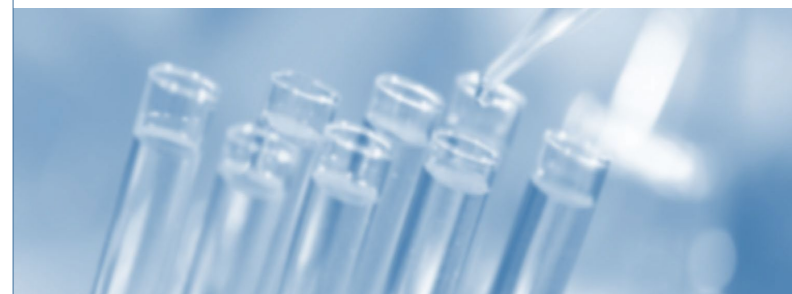
## 成長の前提条件

### 医薬品事業

- 中国における肺線維症治療薬の市場はコロナの状況に関わらず成長が見込まれること。
- 北京コンチネント薬業のアイスーリュイはますます競争に直面しつつも引き続き高い市場シェアを維持すること。
- 開発中の薬品が承認されること。

### 医療機器事業（生体材料）

- BABが順調にコロナの影響から脱し、良好な収益性を維持した成長をすること。
- アジアでコスメティック領域に事業を拡張すること。



# 主要事業における競合環境と当社グループの強み

## 医薬品事業

### 北京コンチネント薬業有限公司 (BC\*)

#### 競合他社

Boehringer Ingelheim, Beijing Kaiwin, CSPC  
Enbipu Pharmaceuticals



康蒂尼  
CONTINENT

#### 強み

- ・ 臓器線維症治療のグローバルリーダー
- ・ 慢性B型肝炎誘発性肝線維症のパイオニア
- ・ 臓器線維化と炎症の専門知識に基づく治療領域の拡大
- ・ 研究開発から製造および販売までカバーする医薬品バリューチェーン
- ・ 高い実務能力を持つ強力な経営陣

### Cullgen

#### 競合他社

Arvinas, Nurix, Kymera Therapeutics, C4 Therapeutics,  
Monte Rosa Therapeutics

#### 強み

- ・ トップクラスの研究開発陣営
- ・ 米国と中国にまたがることによるコスト効率の高い開発と試験オペレーション
- ・ 革新的かつ差別化された創薬プラットフォーム
- ・ 多数の新しい候補薬を含むパイプライン
- ・ 規制当局との人脈と経験

cullgen

## 医療機器事業（生体材料）

### Berkeley Advanced Biomaterials LLC (BAB)

#### 競合他社

Ventris Medical, Biologica Technologies, Biogennix,  
Access2Bone, PUR Biologics

#### 強み

- ・ 長期かつ安定した事業実績
- ・ 高品質なプレミアムブランド製品群
- ・ オートバイオロジクスでの確たる市場シェア
- ・ 良好かつ安定した収益性



\*: 香港証券取引所のウェブサイトに掲載されているBCの目論見書をご覧ください。

## 成長戦略



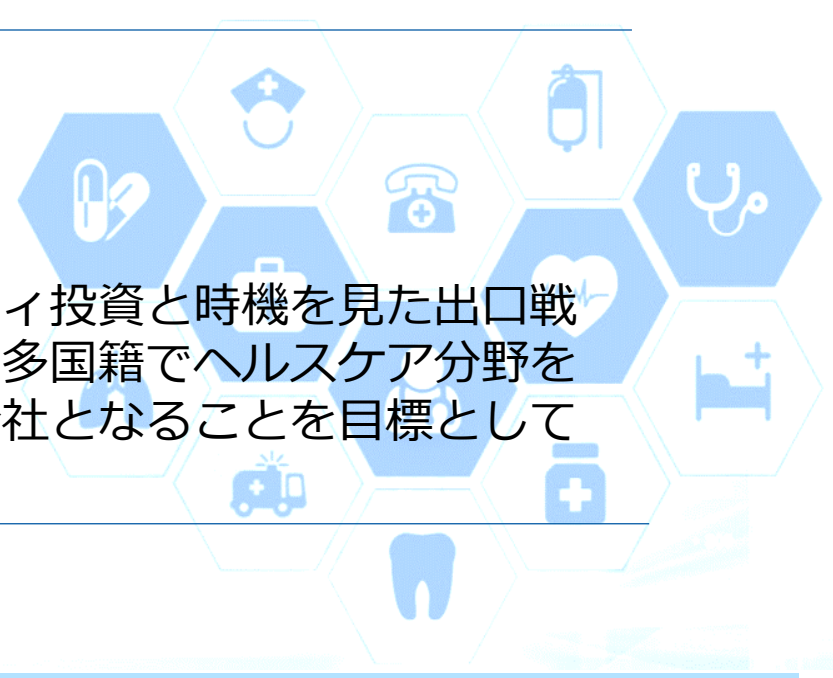
### 中期成長戦略

広範にわたる医薬品バリューチェーンにおいて、強力な製品パイプライン、継続的な研究開発、及び複数の収益基盤を持つ収益性の高いグローバルヘルスケア企業として引き続き事業をすることを目標としています。



### 長期成長戦略

長期的には、厳選したマイノリティ投資と時機を見た出口戦略を通じ、有機的に統合された、多国籍でヘルスケア分野を対象とする投資ホールディング会社となることを目標としています。



## 各事業の成長戦略

### 医薬品事業

#### 北京コンチネント薬業有限公司 (BC\*)

- 線維症疾患治療における先進的地位を固め、事業拡大の機会を模索します。
- 学会活動を強化し、販売網を拡大します。
- 価値向上につながる事業開発と提携を通じ、製品ポートフォリオを堅実に充実させます。
- 生産能力を増強し、生産コストを管理するための設備拡張を行います。
- 質の高い人財を継続的に採用、育成、確保します。

#### Cullgen (米国)

- 新規E3リガーゼの発見を通じ、タンパク質分解技術をリードします。
- がんに対する新しい治療法を確立します。
- 優秀な研究開発チームを構築します。
- グローバル市場に集中します。

\*: 2022年2月28日に開示しました通り、BCは香港証券取引所に上場申請を致しました。当社はBCの戦略に関しては、将来の事項になりますのでコメントができないことをご了承ください。そのような将来に関するコメントは香港証券取引所の上場規程に違反することになります。(P7のリンクをご覧ください)

### 医療機器事業 (生体材料)

#### Berkeley Advanced Biomaterials LLC (米国)

- 市場における高品質という評判を維持します。
- 生体組織バンク (tissue bank) 事業を拡大します。
- グローバル、特に中国での直販を拡大します。
- コスメティック領域の手術等における新たな商用活用を展開します。

### その他

#### 上海リーフ国際貿易有限公司

#### 上海ジェノミックステクノロジー有限公司

#### 上海 Hanyu Biotechnology

- 既存事業間での相乗効果を創出します。

### 投資

#### CellCarta, Societal CDMO (元Recro Pharm)

- 経済価値を創出するため、時機を見て厳選した投資を行います。
- 顕著な経済的リターンを追求します。

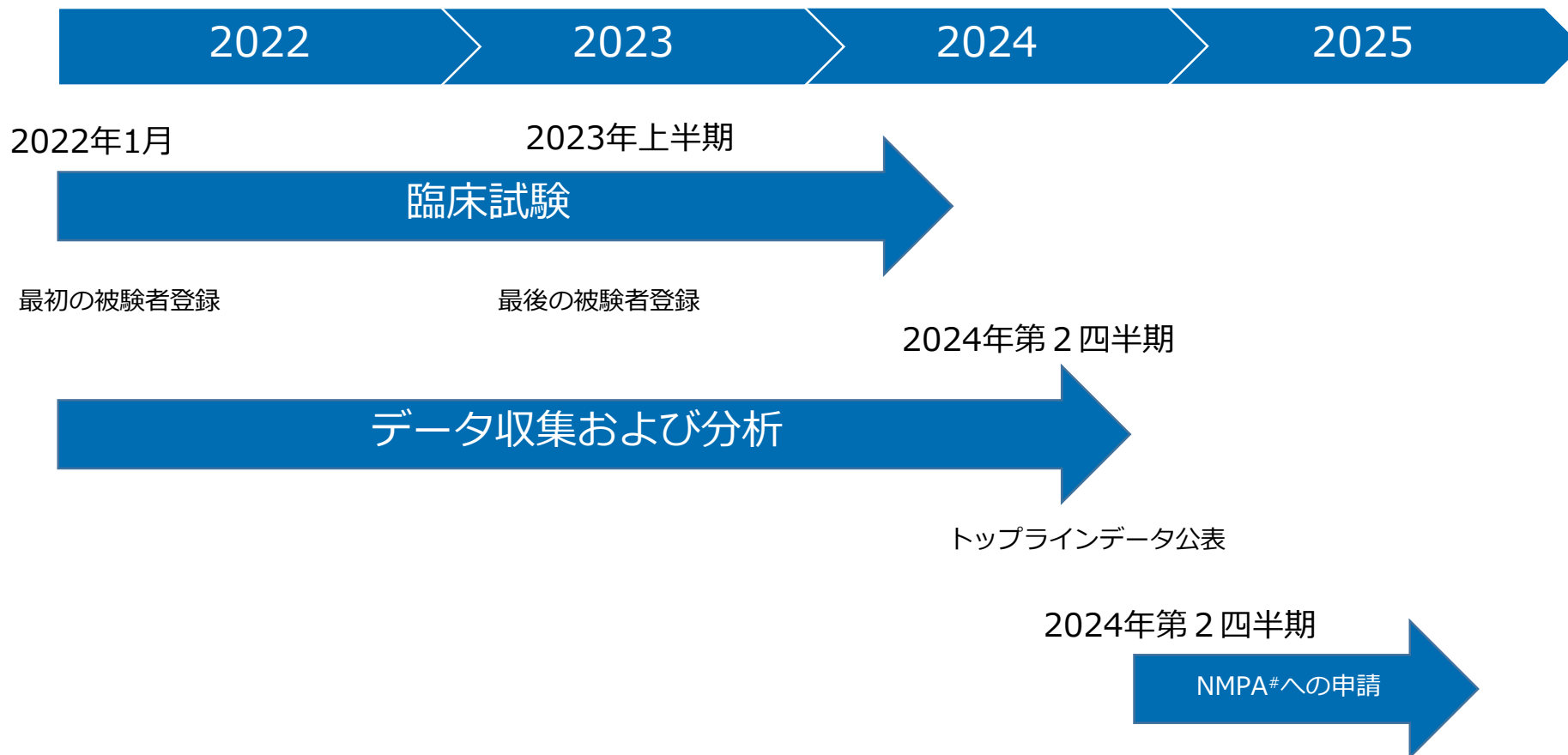
# 上市に向けた臨床試験計画

北京コンチネント		品目	適応症	前臨床	第I相	第II相	第III相	NDA	上市済	今後のマイルストーン	承認予定日	商権	
呼吸器系疾患	線維症関連	アイズーリュイ (ビルフェニドン)	特発性肺線維症(IPF) ★	→							商用化済		
			皮膚筋炎 間質性肺疾患 (DM-ILD) ★	→							2025年 NDA	2025	
			全身性硬化症に伴う間質性肺疾患(SSc-ILD)	→							2027年NDA	2027	
			じん肺症	→							2022年Q2に第III相開始	2025	
	その他	F528	慢性閉塞性肺疾患(COPD)	→						2022年Q4にIND	2028		
		F230	肺動脈性肺高血圧症(PAH)	→						2023年Q3にIND	2028		
肝臓病	線維症関連	F351 (ハイドロニドン)	B型慢性肝炎 肝線維症	→							2024年Q2にNDA	2024	
	その他	F573	急性肝不全(ALF)/慢性肝不全の急性増悪(ACLF)	→							2022年Q4に第II相開始	2025	
腎臓病	線維症関連	アイズーリュイ (ビルフェニドン)	糖尿病性腎臓病(DKD)	→							2022年Q4に第III相開始	2027	

★ 希少疾患    ● 中国での権利    グローバルな権利    グローバルでの先行権

## Cullgen

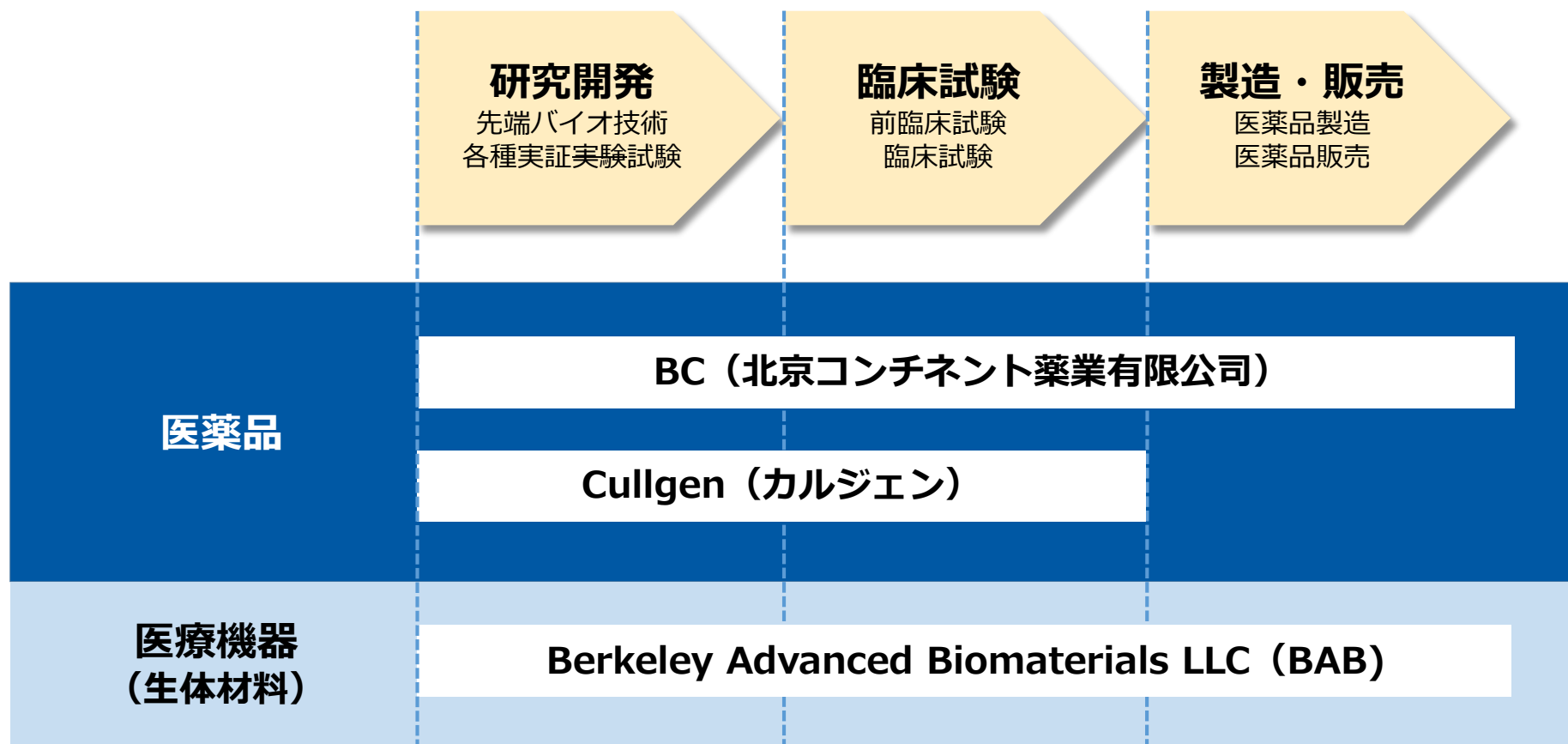
製品-適応症	開発	第I相	第II相	第III相	2022年3月の最新状況
PROTAC (中国)					
がん	自社				がん向け第I相臨床試験のためNMPAとのIND事前討議開始

開発ハイライト: F351 ロードマップ<sup>o</sup> (計画) \*

- 2022年3月現在での計画ですが、全てのスケジュールや期日は、様々な要因によって大幅に影響を受けたり遅れたりすることがあります。詳細なスケジュールやガイドラインは、香港証券取引所のウェブサイトに掲載されている目論見書をご覧ください。  
(<https://www1.hkexnews.hk/app/sehk/2022/104256/documents/sehk22022800504.pdf>)

#: 中国国家薬品监督管理局

## 当社グループの医薬品バリューチェーン - 概要





## 北京コンチネント薬業有限公司（BC）の特徴

- ✓ 新薬候補物の探索から化合物探索、臨床試験、製造・販売と、医薬品事業のバリューチェーンを一貫してカバーしています。
- ✓ 特発性肺線維症治療薬アイスーリュイ（艾思瑞®）の製造・販売を通じたAPI / 医薬品製造体制を確立しました。またアイスーリュイの適応症を拡大するための臨床試験を推進します。
- ✓ 中国全土の販売・流通網を通じて、中国市場における線維化疾患のリーダーとしての地位を築きました。
- ✓ 独自の強みを持つ医薬品開発や製薬事業を行うバイオテクノロジー企業へ、自己資金より投資をします。
- ✓ 慢性B型肝炎に伴う肝線維症治療薬のF351と、糖尿病性腎疾患による腎線維症のETUARY®を開発し、世界的な臓器線維症治療をリードしています。
- ✓ 臓器の炎症・不全に関する候補薬の慎重な選択により、治療薬パイプラインを継続的に拡大します。



## Cullgenの特徴

- ✓ 最先端の研究に、中国のスピードとコスト優位性を組み合わせ、独自の標的タンパク質分解誘導技術uSMITE™（ユビキチン化を介した標的タンパク質分解誘導技術）によって創薬に革命を起こします。
- ✓ 米国と中国に、がん細胞生物学分野及びユビキチンプロテアソームシステムにおける一流の研究科学者陣を擁しています。
- ✓ 米国と中国にある研究施設において、新薬のパイプラインをコスト効率良く構築しています。
- ✓ グローバルなベンチャーキャピタルと専門的なプライベートエクイティ投資家からの強力な財務面の支援とパートナーシップを得ています。



## Berkeley Advanced Biomaterials (BAB) の特徴

- ✓ 種々の自己移植や生体組織バンク向け骨及び軟組織用の生体材料製品（代替骨、人工骨、パテ等）を製造・販売しています。
- ✓ 独自の開発と製造ノウハウを自社で保有しています。
- ✓ 実績豊富な経営陣を擁しています。
- ✓ 直販と多国籍企業へのOEMを通じた市場浸透力を有します。
- ✓ スリムで効率的な組織体制を敷いています。
- ✓ 米国以外の市場に事業を拡大する潜在能力があります。



## バランスの取れた利益と研究開発投資の収益構造

1. 当社グループは、収益性の維持と重要な新薬開発とのバランスを達成しており、グローバルなバイオテクノロジーベンチャー企業の中では、数少ない存在です。
2. 当社グループの研究開発型子会社であるCullgenは、グローバルなベンチャーキャピタルやプライベートエクイティ投資家の支援により、次世代創薬技術への投資を継続します。
3. 各子会社は、それぞれ現地の経営陣のリーダーシップの下、それぞれに最適な事業計画を柔軟に進められるグループ体制になっています。
4. 各子会社は、それぞれの領域での事業拡大に向けて財務を強化するため、株式公開を検討することを奨励しています。この指針に従い、北京コンチネントは、2022年2月28日に香港証券取引所のメインボードにH株の上場を申請いたしました。

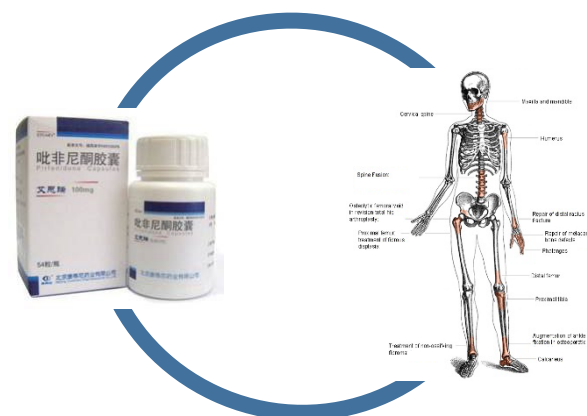
## 潜在市場

### 医薬品事業

- 北京コンチネント薬業は、肺、肝臓、腎臓疾患の線維症等を重点領域としています。2020年には、中国で主要臓器の線維症に苦しむ患者様が1億5,860万人います。(出典：Frost & Sullivan)
- 世界における肝線維症市場は2021年だけで130億米ドルで、2026年までに220億米ドルに成長すると予測されています。(出典：Market Data Forecast)
- Cullgenの基盤となる技術と医薬品開発プラットフォーム(uSMITE™)を適用できる、がんの世界市場の全規模は、2027年までに3,940億米ドルに達する見込みです。(出典：Fortune Business Insights)

### 医療機器事業（生体材料）

- 米国のBerkeley Advanced Biomaterialsが事業を展開する世界における生体材料市場規模はUS17億ドルとされています。(出典：iData Research)



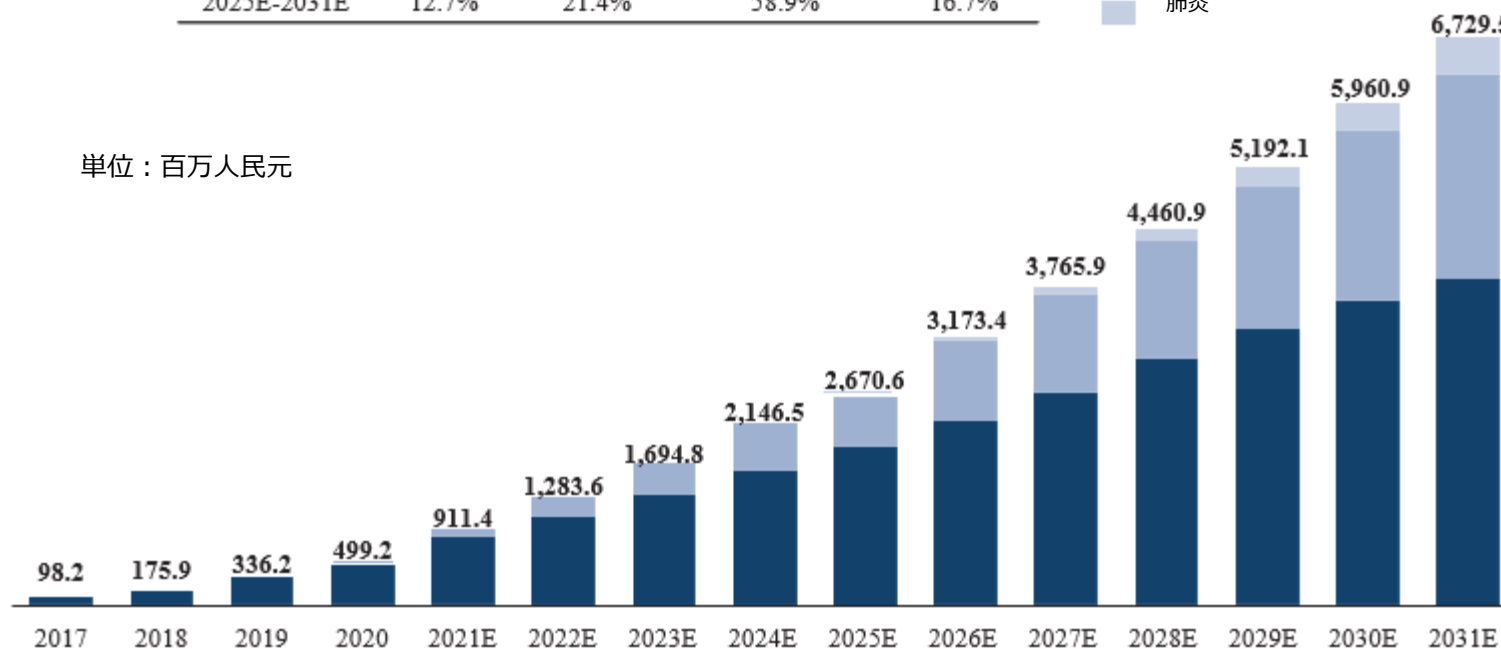
## アイスーリュイの市場規模：中国の抗肺線維症薬市場

- ✓ 中国における肺線維症治療薬の市場規模は、2031年までに67億人民元になり、2017年から2031年までの年平均成長率は35.2%に達すると予想されています。(Frost & Sullivan)
- ✓ 北京コンチネントのETUARY®(ピルフェニドン)は先行者であるため、医療業界の信頼を確立しており、中国の抗肺線維症薬市場で突出した市場シェアを占めています。

CAGR	IPF	CTD-ILD	肺炎	全体
2017-2020	69.5%	-	-	71.9%
2020-2025E	31.6%	104.4%	-	39.9%
2025E-2031E	12.7%	21.4%	58.9%	16.7%

■ IPF：突発性肺線維症  
■ COD-ILD: 結合組織疾患を伴う間質性肺疾患  
■ 肺炎

単位：百万人民元



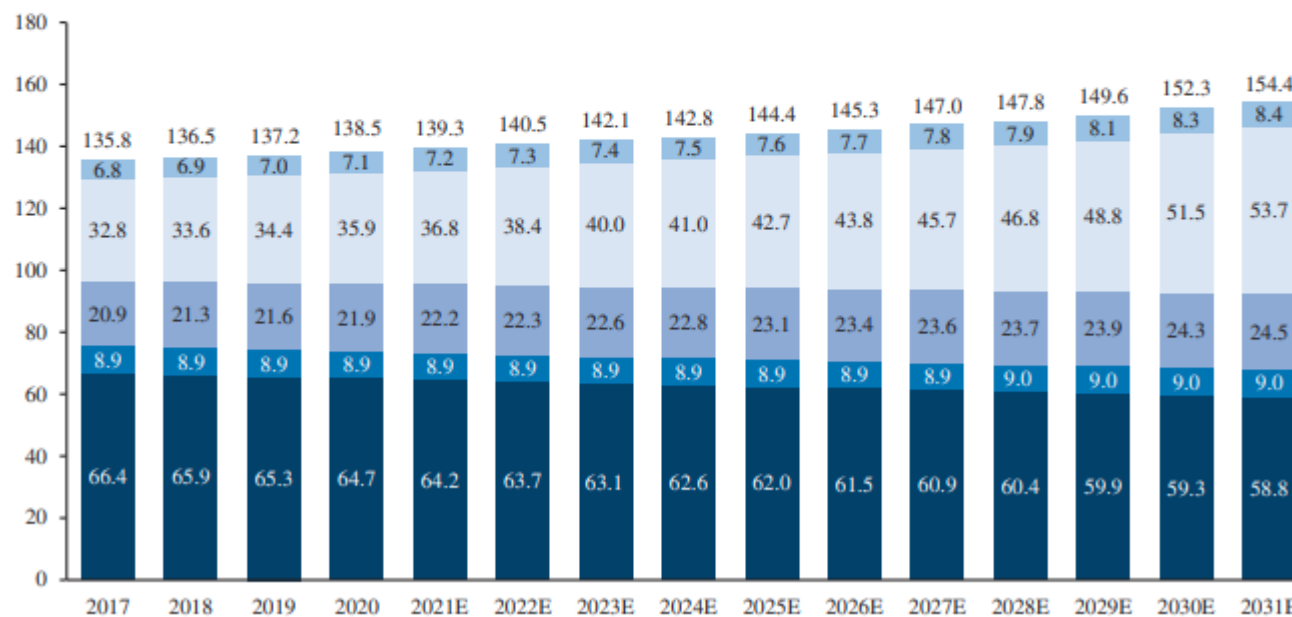
Source:  
Frost & Sullivan Analysis

## F351の潜在市場規模：中国における肝線維症の広がり

- ✓ 中国において、肝線維症の罹患者数は2017年の1億3,580万人から2020年の1億3,850万人に増加し、2025年に1億4,440万人、2031年までに1億5,440万人に増えると予想されています。2020年においては、慢性B型肝炎による肝線維症の症例は、中国全体の肝線維症患者の46.7%に上りました。

CAGR	By CHB	By CHC	By ALD	By NAFLD	Total
2017-2020	-0.8%	0.0%	1.5%	3.1%	0.7%
2020-2025E	-0.9%	0.1%	1.1%	3.5%	0.8%
2025E-2031E	-0.9%	0.2%	1.0%	3.9%	1.1%

単位：百万人

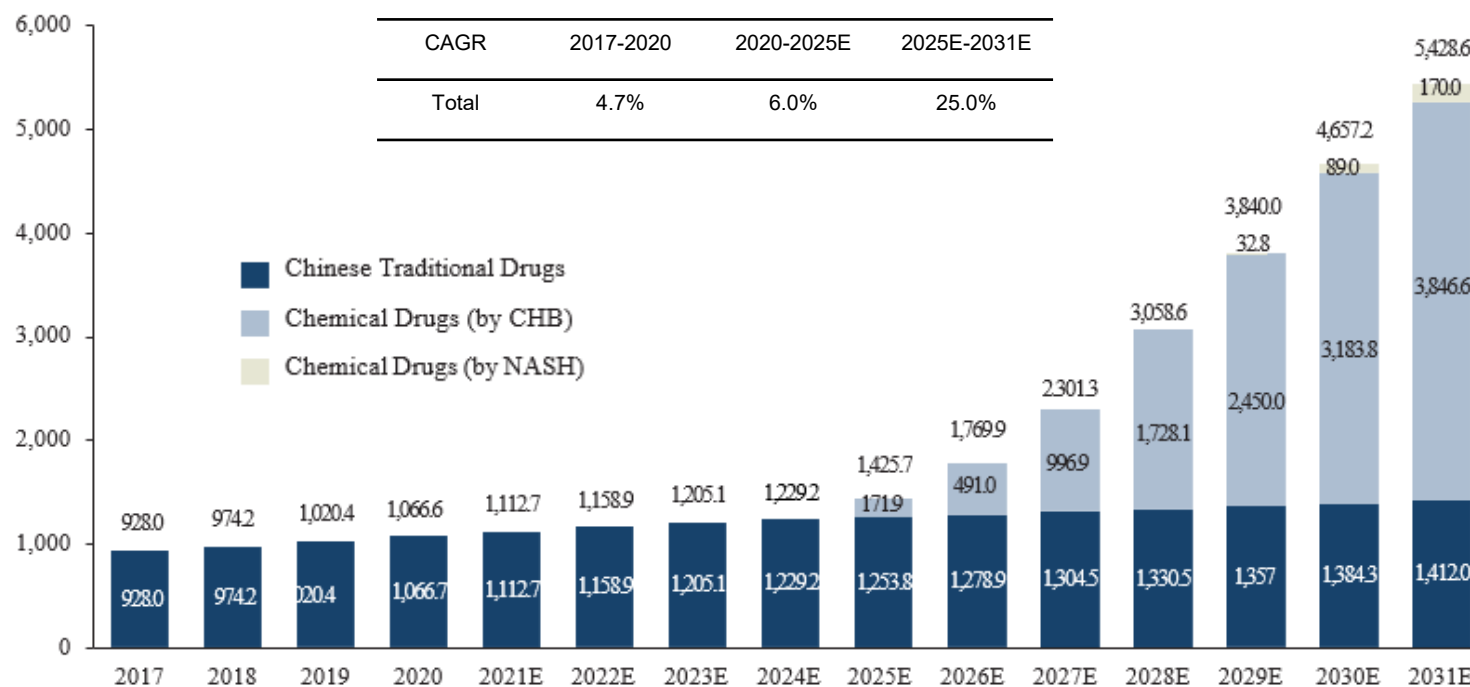


Source: Fu-Sheng Wang, et al. The global burden of liver disease: the major impact of China. *Hepatology*, December 2014; Lin MH, et al. Liver Fibrosis in the Natural Course of Chronic Hepatitis B Viral Infection: A Systematic Review with Meta-Analysis. *Dig Dis Sci*. May 2021. Literature Review; Expert Interview; Frost & Sullivan Analysis

## F351の潜在市場規模：中国の抗肝線維症薬市場

- ✓ 中国における抗生線維症薬の全体的な市場は、2031年までに54億人民元に成長し、2017年から2031年までの年平均成長率は13.4%に達すると予想されています。(Frost & Sullivan)
- ✓ 抗肝線維症薬の獲得可能な市場規模は、将来、肝線維症罹患者の数よりも速く拡大することが見込まれます。より多くの診断と処方になされ、患者の方々が処置を継続するため、患者数と薬の市場規模拡大の差はより大きくなることを見込まれます。

単位：百万人民元



Source: Expert Interview; Frost & Sullivan Analysis



## 前年度比業績

(百万円)

損益計算書	FY2020 実績	FY2021 実績	増減率
売上収益	9,773	12,690	30%
売上総利益	8,227	11,089	35%
販売費及び一般管理費	5,180	7,958	54%
研究開発費	1,243	2,015	62%
営業利益	1,869	1,624	-13%
金融収益	46	129	182%
金融費用	109	647	491%
税引前利益	1,805	1,107	-39%
法人所得税費用	440	1,051	139%
当期利益	1,365	55	-96%
親会社の所有者に 帰属する当期利益	1,258	1,066	-15%

財政状態計算書	FY2020 実績	FY2021 実績	増減率
現金及び現金同等物	10,322	14,352	39%

### 主なポイント：

- ✓ 売上収益
  - BCとBABはこれまで通りの好調な売上トレンドを引き続き達成する。
- ✓ 販売費及び一般管理費
  - 予定通り、BCが営業体制を、Cullgenが研究体制を強化する。
- ✓ 研究開発費
  - BCが研究開発費を増加し、Cullgenが新薬臨床試験の申請準備を開始する。
- ✓ 金融費用
  - IFRS基準の下で現金支出を伴わない支払利息が発生する。

### 成長のための資本

2021年前半に、当社子会社のCullgenによる研究開発への更なる投資を可能にするため、合計5千万米ドル強の新規資金調達を私募にて行いました。この資金調達に関連して当社が発行した新株予約権は、Cullgenの次の資金調達に当社が参加しない限り、行使されません。これとは別に、北京コンチネントは上場の準備を進めておりましたが、2022年前半に香港証券取引所に上場を申請したと発表いたしました。

## 業績の推移

- ✓ 売上収益の5年間の年平均成長率は57%に上ります。
- ✓ GNIグループの本源的事業価値は、株主様に帰属する利益額に反映されています。

(百万円)

国際会計基準の数値	売上収益	営業利益 (損失)	税引前利益 (損失)	当期利益 (損失)	親会社の所有者に帰属 する当期利益 (損失)
2022年業績予想	16,334	1,815	988	36	961
2021年実績	12,690	1,624	1,107	55	1,066
2020年実績	9,773	1,869	1,805	1,365	1,258
2019年実績	7,446	1,302	1,197	629	181
2018年実績	5,018	568	364	192	(200)
2017年実績	2,648	154	137	28	(175)
2016年実績	1,306	(276)	(385)	(465)	(513)

## 事業計画におけるリスク情報について (1/3)

項目	リスク	対応策
医薬品の開発	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 新規化合物が承認を得られる保証はありません。</li> <li>■ 必要な臨床試験データの内容が臨床開発期間中に変更されたり、申請対象国によって異なる可能性があります。</li> </ul> <ul style="list-style-type: none"> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：中長期</li> <li>◎ 影響度：大</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 研究開発に投資を継続します。</li> <li>■ 新薬パイプラインを分散化し、一つの製品への依存度を最小化します。</li> </ul>
グローバルな事業展開	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 国際的なサプライ・チェーンの乱れ等により、医薬品の製造、流通、販売、医療行為に制約が加えられる可能性があります。</li> </ul> <ul style="list-style-type: none"> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：中長期</li> <li>◎ 影響度：大</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 地域間での協業と並行し、事業活動が各地域内でも完結できるように業務を運営します。</li> </ul>
競合	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 競合他社に劣後した結果、売上収益の減少、販売価格の低迷およびシェアの低下等が起こり、経営成績と利益率に影響を及ぼす可能性があります。</li> </ul> <ul style="list-style-type: none"> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：中長期</li> <li>◎ 影響度：中</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 既存製品を改良し、新しくかつ価格競争力のある製品を開発します。</li> </ul>

## 事業計画におけるリスク情報について (2/3)

項目	リスク	対応策
規制環境	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 医薬品の研究開発活動は、実施する各国の規制当局によって課せられたさまざまな規制の対象となります。</li> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：短期から長期</li> <li>◎ 影響度：大</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 関係機関をモニタリングし、規制変更を早期に発見できるようにします。</li> <li>■ 規制変更への対応方法を事前に検討します。</li> </ul>
データおよび知的財産権(IPR)	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ データ保護と国境を越えた移転に関する規制、特に遺伝情報に関する規制は急速に変化し、厳格化しています。</li> <li>■ 当社グループの知的財産権に対して、他社より異議を申し立てられる可能性があります。</li> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：中長期</li> <li>◎ 影響度：大</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 材料情報マネージャを任命し、最新のデータ関連規制を追跡し、遵守するためのフレームワークの構築をします。</li> <li>■ 業界の特許やその他の知的財産権を細かくモニターし、類似の特許を徹底的に調査した後、特許を申請する体制を整えます。</li> </ul>
製造物責任	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 製薬会社は、自社製品において極めて高い品質要求を満たすことが期待されています。堅牢な品質保証メカニズムを構築しても、品質問題に遭遇する可能性があります。</li> <li>◎ 顕在化の可能性：低</li> <li>◎ 顕在化の時期：中長期</li> <li>◎ 影響度：大</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ GCP（医薬品臨床試験の実施基準）への準拠を徹底します。</li> </ul>

## 事業計画におけるリスク情報について (3/3)

項目	リスク	対応策
COVID-19パンデミックの影響	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ パンデミックによるロックダウンは、その多くを実験室で実施する必要がある研究開発活動を妨げる可能性があります。</li> <li>■ 病院や医療スタッフがパンデミックに注力することで、パンデミックに関連しない臨床試験が遅れる可能性があります。</li> <li>■ パンデミックに対する医療活動の焦点は、パンデミックに関連しない治療を遅らせる可能性があります。</li> </ul> <p>◎ 顕在化の可能性：低 ◎ 顕在化の時期：短期~中期 ◎ 影響度：中</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ より多くの活動をリモートで実施できるように研究開発施設を充実させます。</li> <li>■ 事業の所在地を多様化します。</li> </ul>

## お問い合わせ先

[infojapan@gnipharma.com](mailto:infojapan@gnipharma.com)