



株式会社ジーエヌアイグループ

株主懇親会資料

2019年11月19日

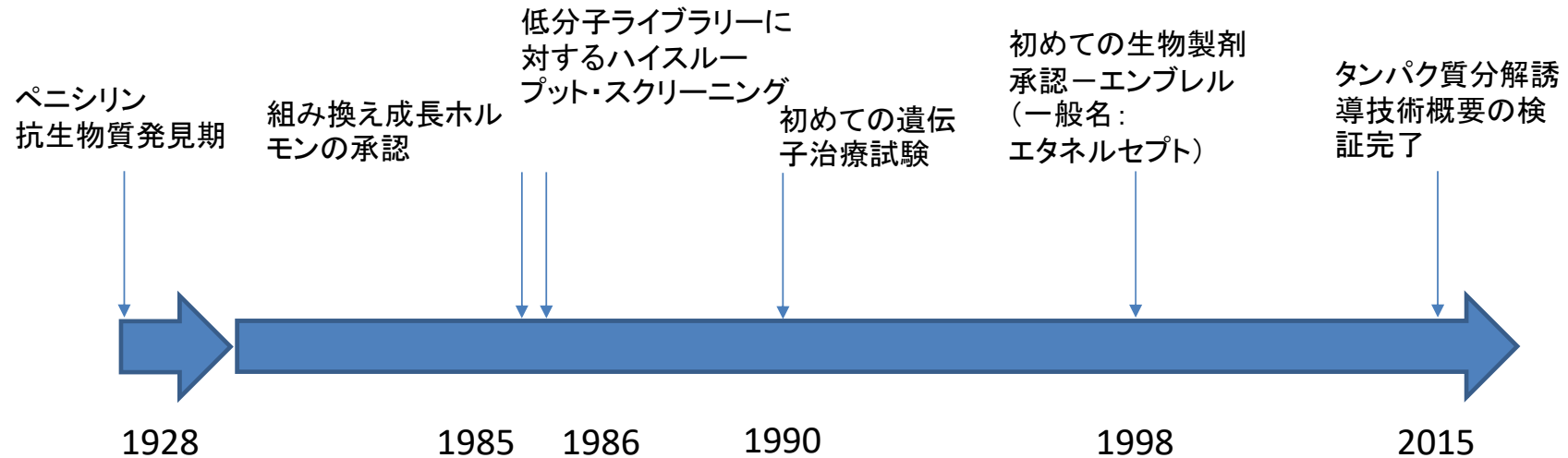
証券コード: 2160

The logo for Cullgen, featuring the word "Cullgen" in a blue, sans-serif font. The letter "u" is stylized with three small blue dots above it, and the letter "n" is also stylized with three small blue dots above it. A dark blue horizontal bar is at the top of the page, and a thin gold vertical line is on the left side.

Cullgen

ジーエヌアイグループは創薬革命に投資

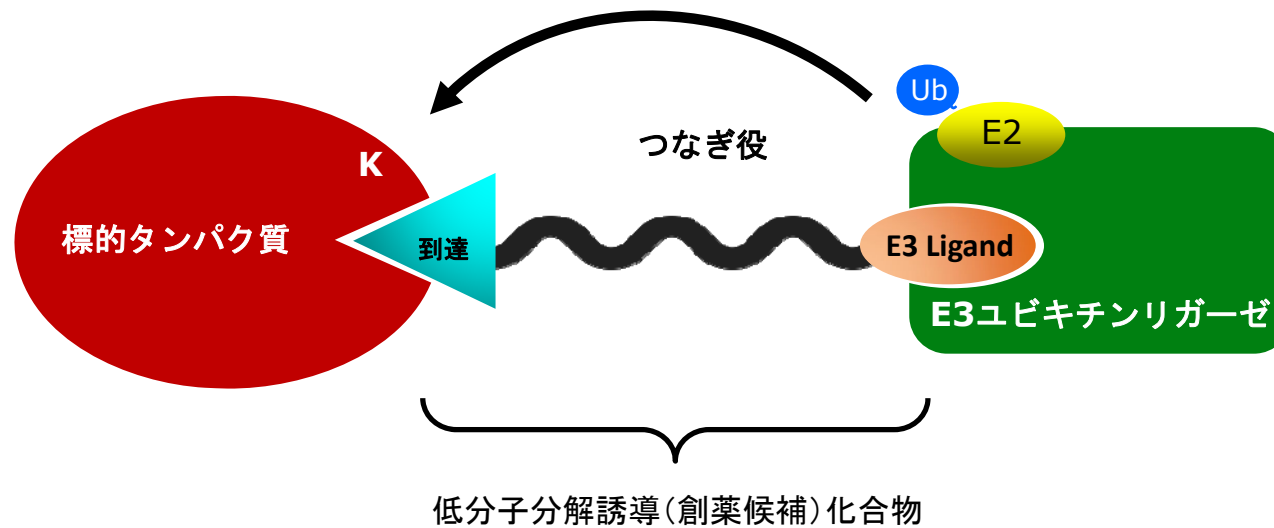
画期的なテクノロジーが10年間隔で出現



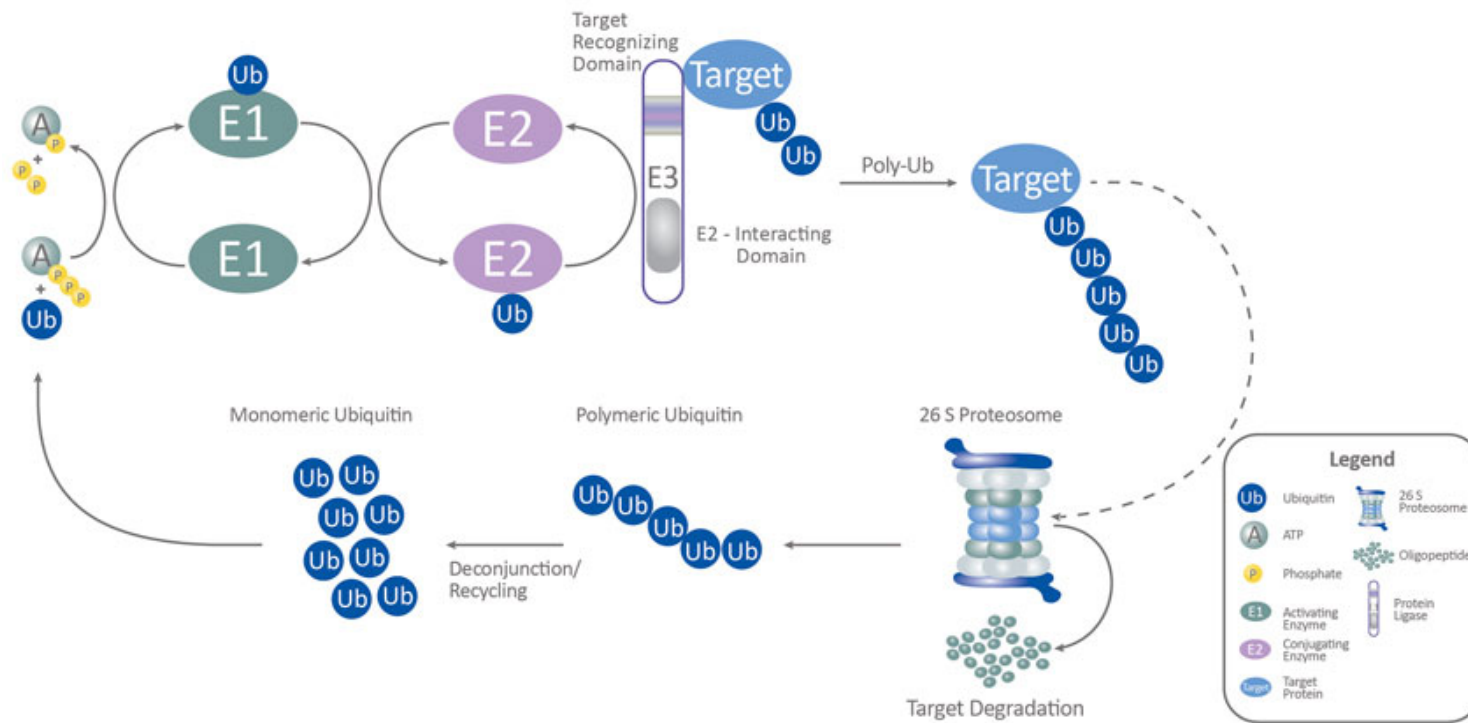
何故、タンパク質分解誘導技術は創薬の革命なのか？

- 阻害ではなく、標的タンパクの分解
- ハイブリッド低分子
- 経口投与可能な分子量
- 高い費用対効果と迅速な創薬研究開始が可能

ユビキチン化を介した低分子標的タンパク質分解誘導技術

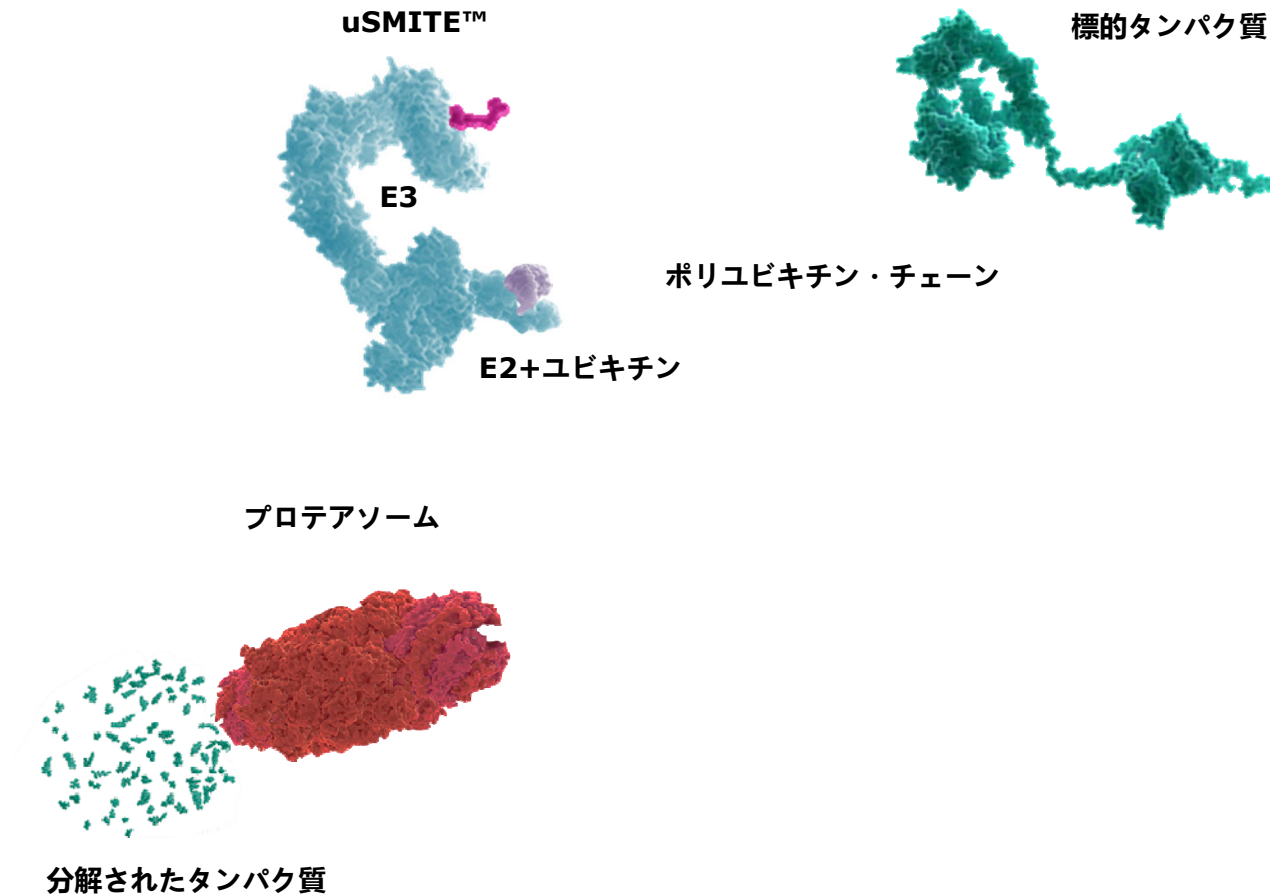


プロテアソームは細胞内浄化システム

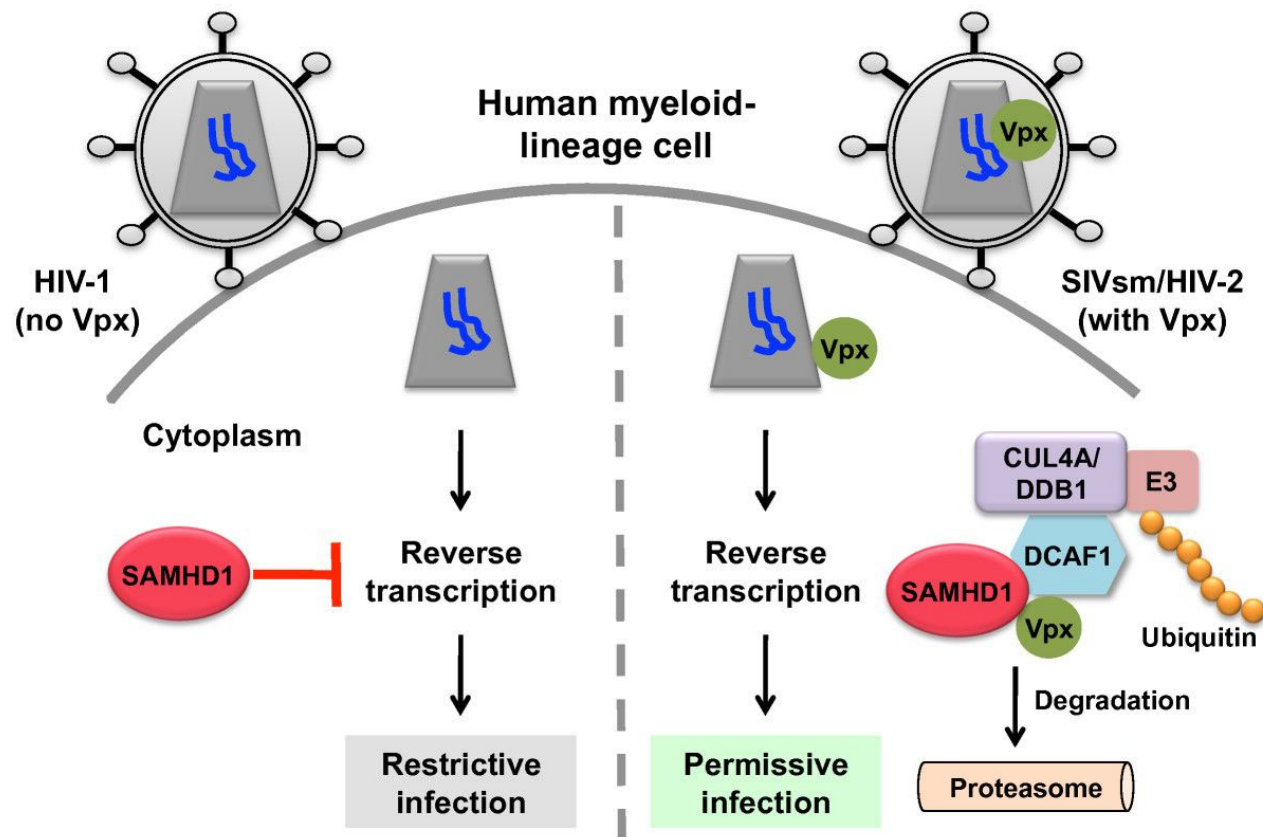


細胞内タンパク質の多くは、ユビキチン-プロテアソーム系を介して分解される。

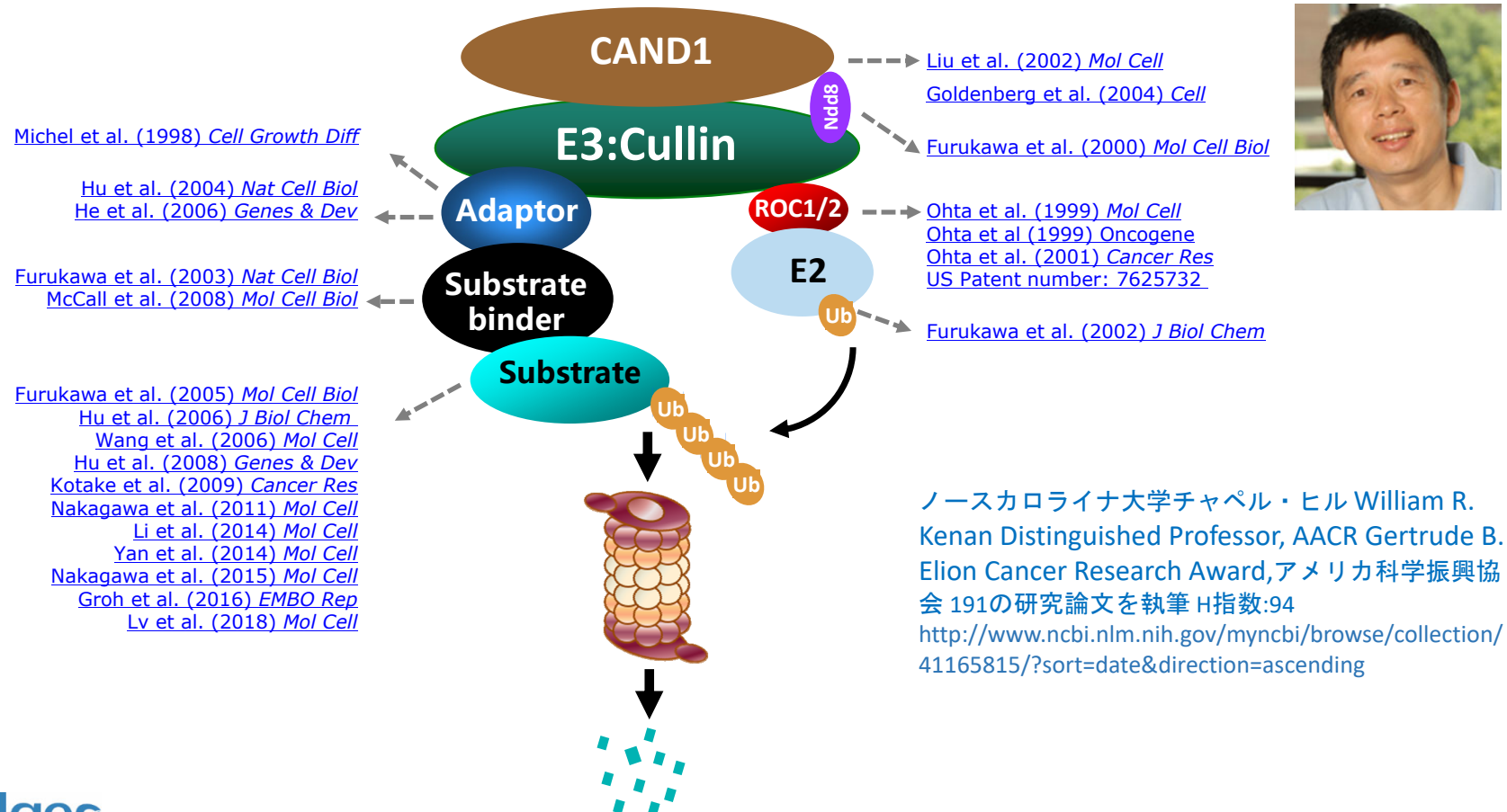
ユビキチン化を介した低分子標的タンパク質分解誘導技術



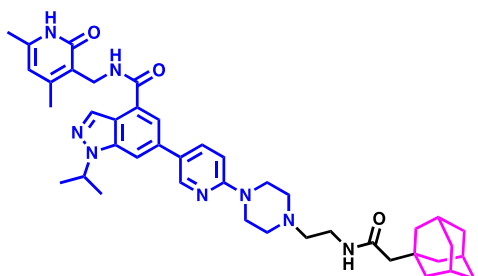
ウイルスがユビキチンシステムを利用して宿主防御タンパク質を分解する方法



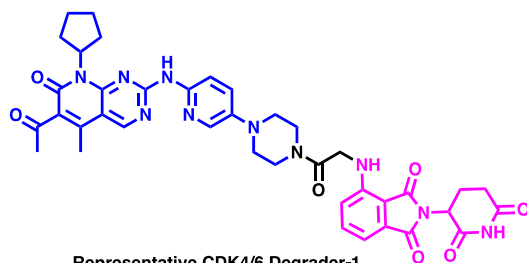
Yue Xiong 教授 : ユビキチン研究のリーダー



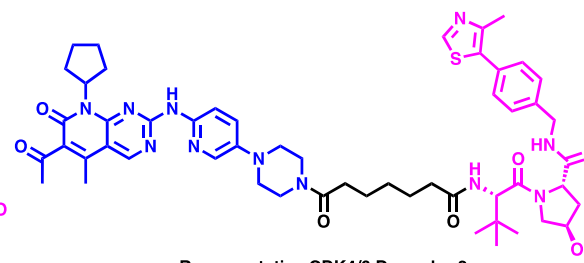
Jian Jin 教授：卓越した創薬化学者



Representative EZH2 Degrader
WO2018081530A1

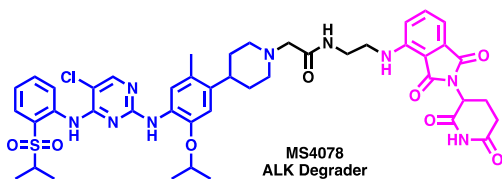


Representative CDK4/6 Degrader-1

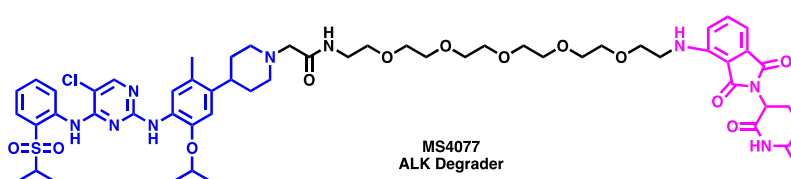


Representative CDK4/6 Degrader-2

WO2018106870A1



MS4078
ALK Degrader



MS4077
ALK Degrader

Eur. J. Med. Chem. 2018, 151, 304-314.



マウント・サイナイ・アイカーン医科大学寄金講座教授（治療発見学）/マウント・サイナイ・センター部長（治療発見学）/前グラクソ・スミスクライン(株)医薬化学部長
5種の臨床段階化合物を開発、100を超える研究論文と50近い特許を公開。
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/myncbi/browse/collection/42856915/?sort=date&direction=descending>

専門家チーム-創設者、経営陣、科学顧問、および資金



Ying Luo
Chairman
会長



Yue Xiong
共同創業者
UNC - Chapel Hill
ノースカロライナ大学
チャペルヒル



Jian Jin
共同創業者
Mt. Sinai School
of Medicine
マウントサイナイ
医科大学



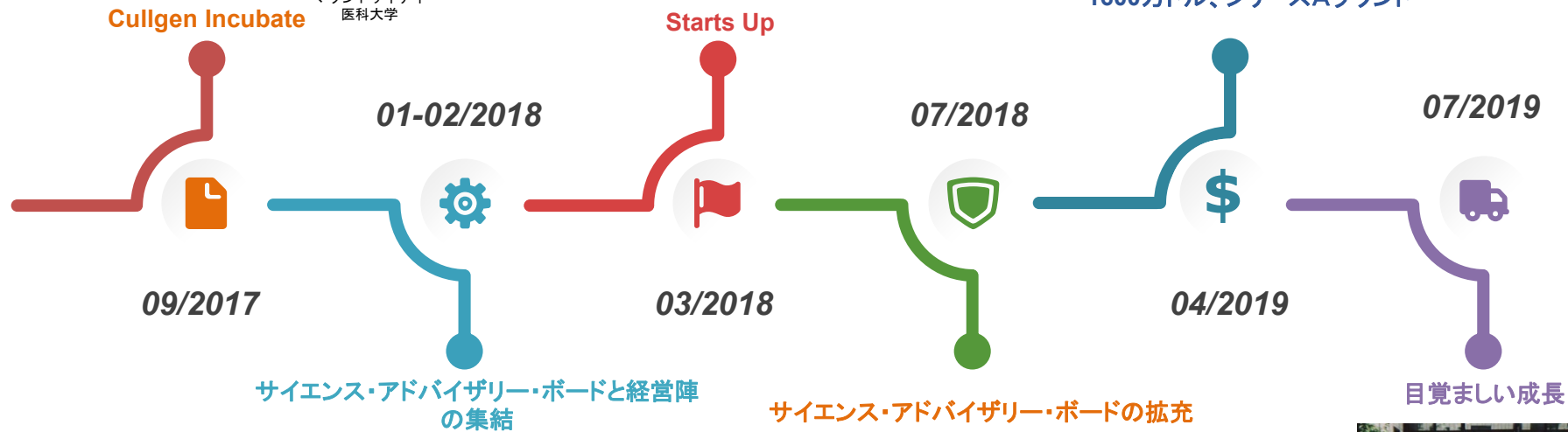
- San Diego, US
- Shanghai, China
- Tokyo, Japan

1500万ドル、シードステージにおける資金調達



Sequoia Highlight

1600万ドル、シリーズAラウンド



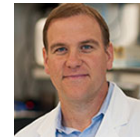
Lisa Carey



Stephen Frye



Peter Jackson



Tim Heffernan



Michele Pagano



現在、56名の
フルタイム・スタッフ



世界に向けての継続的な発信



Dates	Name of conference	Organizer	Venue/Local Speaker/Attendee	Presentation/Poster Title
2018/4/27	The 17th Science Café at Shanghai Center for Drug Discovery & Development at Fudan University	Fudan University	Shanghai, China	Jing Liu Proteolysis Targeting Chimeras (PROTACs) of Anaplastic Lymphoma Kinase (ALK)
2018/10/24-2018/10/25	Targeted Protein Degradation Summit	Hanson Wade	Boston, MA	Michael Plewe Targeted Protein Degradation for Treatment of Cancer
2019/04/09-2019/04/10	14th Annual Drug Discovery Chemistry	CIH	San Diego, CA	Yue Xiong Lessons from Viral Hijacking of Ubiquitin-mediated Protein Degradation
2019/03/08-2019/04/10	14th Annual Drug Discovery Chemistry	CIH	San Diego, CA	Michael Plewe Targeted Protein Degradation for Treatment of Cancer
2019/5/16	Symposium on Frontier in PROTAC Drug Discovery and Development	ShanghaiTech University	Shanghai, China	Yue Xiong Ubiquitin-dependent, small molecule-induced target elimination
2019/06/03-2019/06/06	IBO International Convention	the Biotechnology Innovation Organization	Philadelphia, PA	Seth Goldblum Targeted Protein Degradation
2019/08/22-2019/08/23	Targeted Protein Degradation Forum	IBMA	Yokohama, Japan	Michael Plewe Ubiquitin-mediated small molecule induced target elimination (USMIT) for cancer
2019/08/25-2019/08/29	Fall 2019 ACS National Meeting	American Chemical Society	San Diego, CA	Michael Plewe Small molecule-mediated degradation of BRAF-V600E for the treatment of melanoma
2019/09/16-2019/09/17	17th Annual Discovery on Target	CIH	Boston, MA	Yue Xiong Ubiquitin-Mediated Small Molecule Induced Target Elimination in Cancer
2019/09/16-2019/09/17	17th Annual Discovery on Target	CIH	Boston, MA	Michael Plewe Targeted Protein Degradation for Treatment of Cancer
2019/10/22-2019/10/24	2nd Annual TPD Targeted Protein Degradation	Hanson Wade	Boston, MA	Michael Plewe Ubiquitin-Mediated Small Molecule Induced Target Elimination (USMIT) for Cancer
2019/10/27-2019/10/28	4th Medicinal Chemistry and Protein Degradation Summit	Global Engage	London, UK	Michael Plewe Ubiquitin-Mediated Small Molecule Induced Target Elimination (USMIT) for Cancer




事業会社とアカデミアの経験を兼ね備えた マネジメントチームの拡充



Dr. Michael Plewe, Vice President
U. Konstanz, UC Irvine, Arisan Therapeutics, Pfizer
Dr. Michael Plewe



Dr. Jing Liu, Executive Director
Glycan Therapeutics, UNC,
Assis. Prof. of Mount Sinai



Dr. Liqun Chen, Director
SIOC, Shang Pharma, Medicillon



Dr. Ting Yang, Director
Manchester Univ., GSK, Bellen



Dr. Chengwei Zhang, Associate Director
SIOC, Baylor, Southwestern Med. Center,
Mount Sinai, Wuxi Pharmtech



Dr. Matt Lee, Research Fellow,
UCSF, Amgen, Eli Lilly, Mirati



Dr. Jialiang Wang, Executive Director
U. North Carolina, Duke
Assis. Prof. at Vanderbilt Univ



Dr. Xiaoran Han, Director
Fudan Univ., Univ. of North Carolina

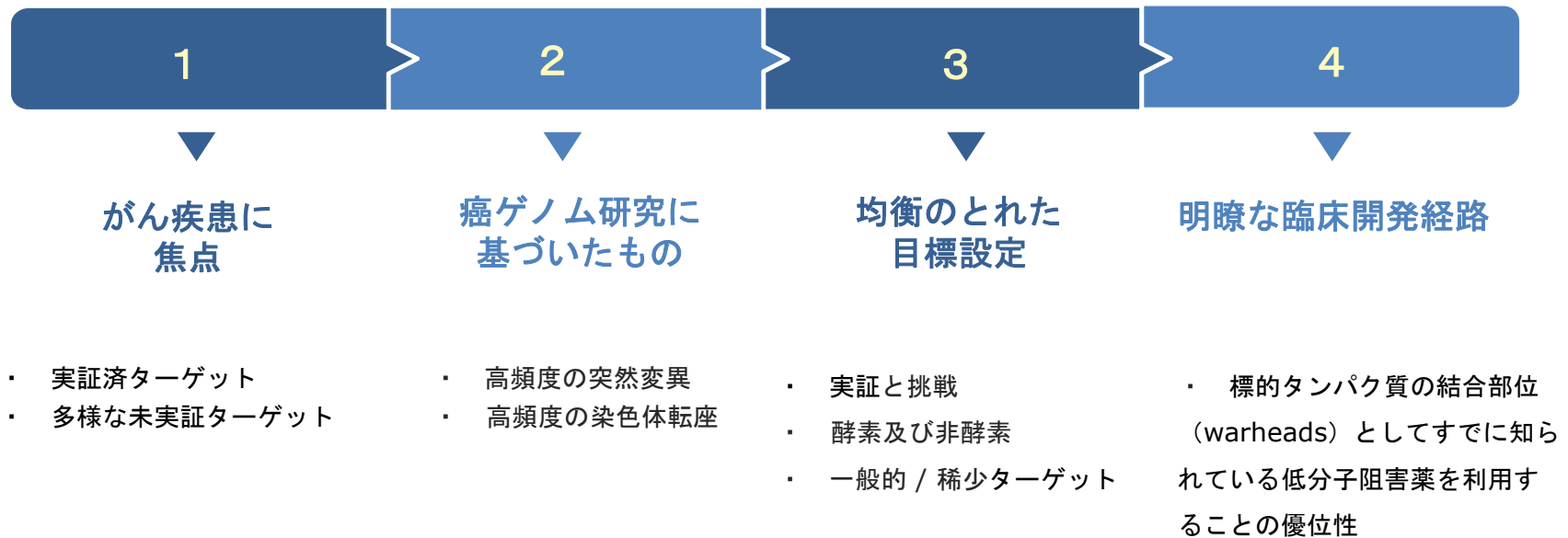


Dr. Fei Yue, Assistant Director
NCI/NIH, Univ. of Illinois

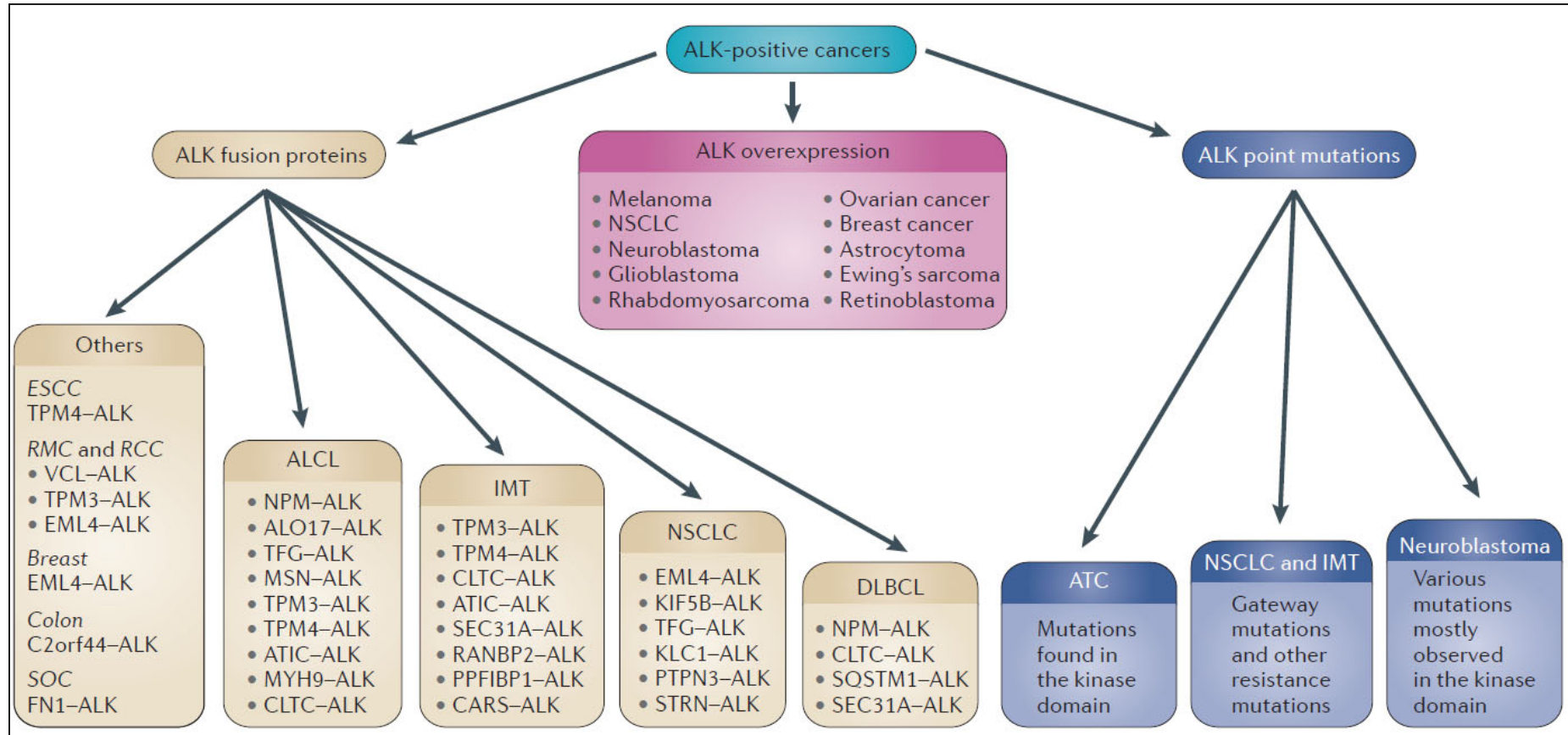


Dr. Yuhong Chai, Scientist
CSIPI, Hansoh Pharma

がん研究こそ私たちの歩むべき道

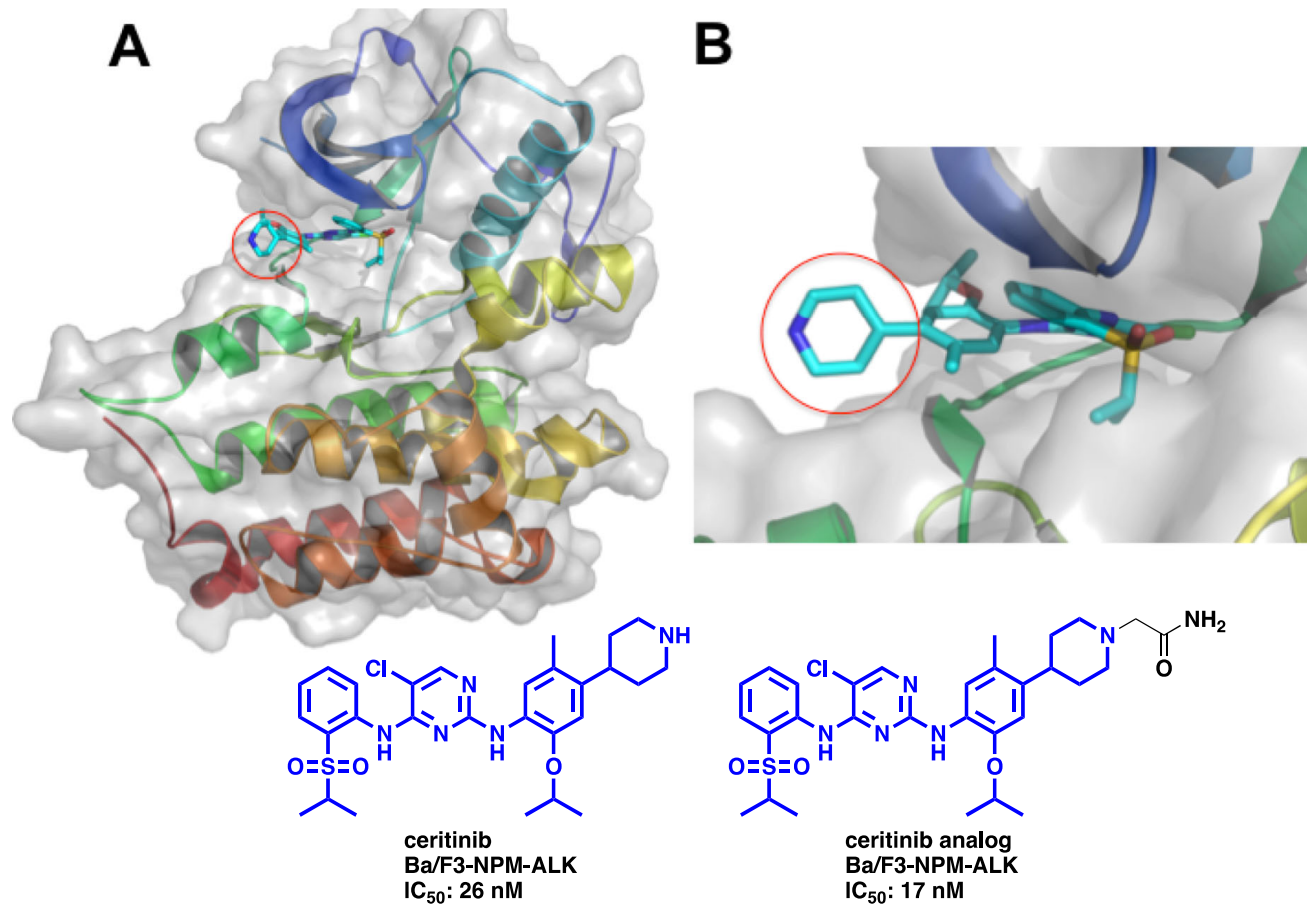


ALK（未分化リンパ腫キナーゼ）陽性がん



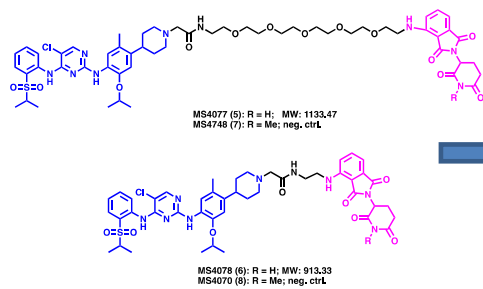
Hallberg and Palmer. (2013) Nat Rev Cancer. PMID: 24060861

ALK をターゲットにしたUSMITE™分解誘導剤のデザイン

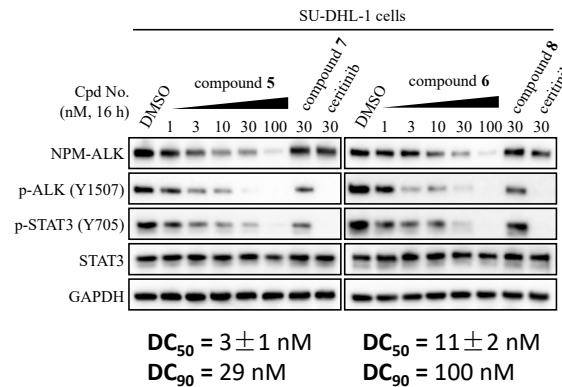


ALK 分解誘導剤開発プロセス

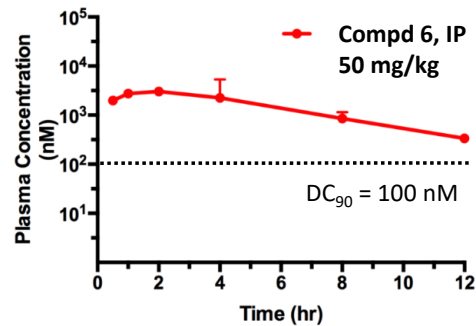
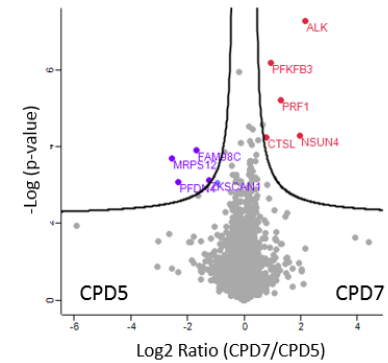
Compound design and synthesis



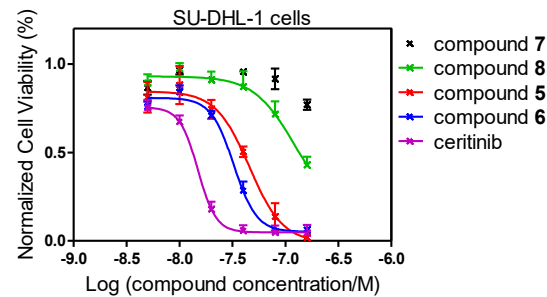
Target protein degradation test



Global protein profiling



In vivo PK test



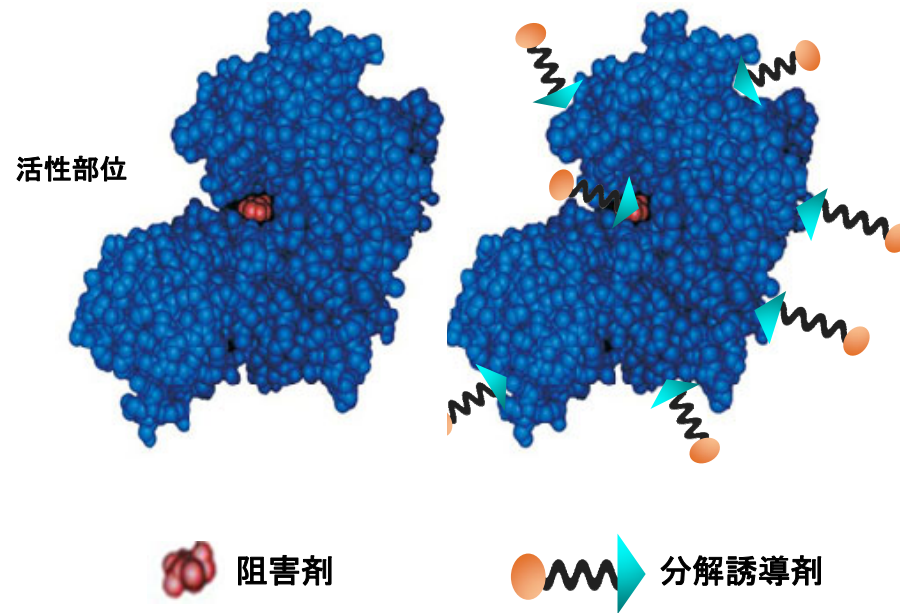
Cell proliferation and apoptosis assay

Cellular IC₅₀

Ceritinib:	15 ± 1 nM
Compd 5:	46 ± 4 nM
Compd 6:	33 ± 1 nM

uSMITE™分解誘導剤の主な特徴・優位性

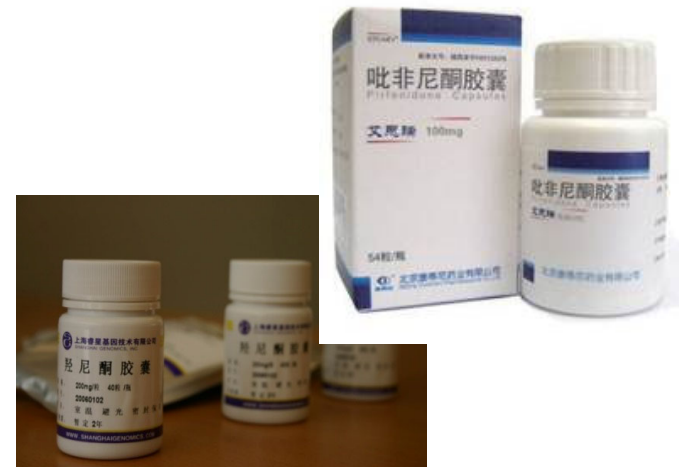
- 薬に出来なかった標的に対する薬剤創出の可能性
- 薬剤耐性に打ち勝つ
- 効能・効果の向上
- 選択性の向上
- 迅速な開発が可能



薬事関連および臨床試験のパートナー： 上海ジェノミクス有限公司

1. 7薬剤のクラス1薬剤INDを申請
第2相臨床試験後、クラス1新薬承認取得 (IPF治療薬・
アイスーリュイ)
2. クラス1薬剤の第2相臨床試験を終了 (肝線維症治療薬F351)
3. 米国にて1薬剤のIND承認並びに第1相臨床試験完了
4. 北京、上海ならびに武漢の経験豊富なCRAチーム
5. 中国、また米国で申し分のない実績を有する経験豊富な
薬事関連チーム
6. 複数の第1、第2並びに第3相臨床試験が現在進行中

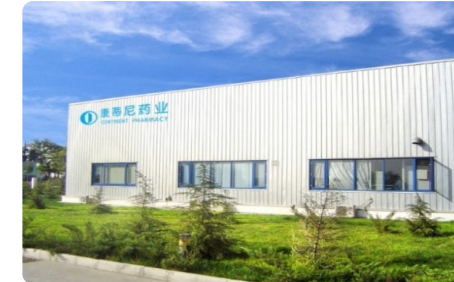
法規名称	发布时间	有条件批准内容
《关于鼓励药品医疗器械创新 加快新药医疗器械上市审评审 批的相关政策》(征求意见稿)	2017.05.11	• 对于国外已批准上市的罕见病治疗药物和医疗器械， 可有条件批准上市，上市后在规定时间内补做相关研究
《关于深化审评审批制度改革 鼓励药品医疗器械创新的意见》	2017.10.08	• 对治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病以及公 共卫生方面等急需的药品医疗器械，临床试验早期、 中期指标显示疗效并可预测其临床价值的，可附带条 件批准上市 • 对境外已批准上市的罕见病治疗药品医疗器械，可附 带条件批准上市
《临床急需药品有条件批准上 市的技术指南 (征求意见稿)》	2017.12.20	• 创新药在三种情况下可获得有条件批准上市： (一) 应用替代终点指标或中间临床终点指标的临 床研究结果可以预测该产品很可能具有有效性和临床获益 而给予有条件批准上市。 (二) 根据早期或中期临床试验数据，可合理预测或 判断其临床获益且较现有治疗手段具有明显优势，允 许在完成确证性临床试验前有条件批准上市。 (三) 境外已批准上市的罕见病治疗药品。



製剤及び製造のパートナー：北京コンチネント薬業有限公司

北京コンチネント有限公司の施設

- ◆ 20,056 平方メートル
2004年に生産を開始
- ◆ 5つの製造ライン: ハードカプセル、錠剤、丸薬、チンキ剤、発泡剤
- ◆ 年間設計能力: ピルフェニドン原薬4トン



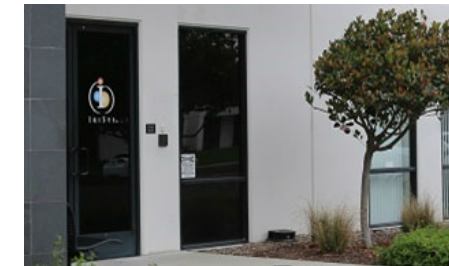
河北省の北京コンチネント有限公司の施設

- ◆ 33,359平方メートル
- ◆ 2017年10月に建設許可を取得、2019年の8月に生産開始
- ◆ 年間設計能力: アイスーリュイ用原薬 10トン、F351用原薬 15トン、特定のジェネリック医薬品1トン
- ◆ 米国FDA規格に準拠するように構築されており、2020年までに米国FDA承認申請予定



Irisys(サンディエゴ)の施設

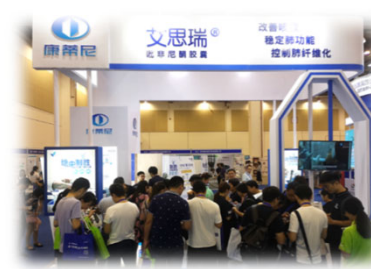
- ◆ 5,000 平方メートル
- ◆ 米国およびカリフォルニア州のGMP 適合性に合格
- ◆ 50名の従業員と博士号を有する9名の科学者
- ◆ 米国での製剤開発、CMO、及び規制当局への申請に長ける



販売のパートナー : 北京コンチネント薬業有限公司

- ◆ CPIの販売およびマーケティングチームは、2018年12月31日時点で1,300以上の病院および医療機関と700を超えるDTC薬局とネットワークを持ち、チベット自治区および青海省を除き、中国のすべての省、自治区、および市町村の市場をカバー
- ◆ 例としてETUARYは第三者の医薬品卸に販売され、その後病院や他医療機関、またDTC薬局に供給。社内で構成された販売・マーケティングチームが直接にマーケティングを行い、結果医療機関、薬局との密接な関係維持を有する
- ◆ **アカデミックプロモーション**と患者ケアに重点を置き、2018年に約500の学術会議とセミナーを開催
- ◆ 2019年5月30日現在、セールスおよびマーケティングチームは約180名の経験豊富な従業員で構成

The Coverage of our Sales Force



ご質問と回答 1

質問

北京コンチネント薬業有限公司の工場見学はしないのでしょうか？

回答

現時点で工場見学の計画はございません。

新工場はオフィス所在地である北京から離れた交通手段が限られた場所に位置しております。

ご質問と回答 2

質問

日本国内での企業活動の予定はありますか？

回答

社長Luoが以前より皆様にお伝えしておりますが、日本の上場企業として国内でのビジネスを念頭に活動しており、現在あらゆる可能性を積極的に模索しております。

ご質問と回答 3

質問

東証一部上場の計画はありますか？

回答

検討中でございます。

ご質問と回答 4

質問

今後、5年間の中期計画はどのようなものですか？

回答

当社は日本、中国、米国にて事業を展開し、5～10年で中規模の製薬会社へと成長を遂げたいと考えております。この計画を遂行するためには、売上・利益と開発費のバランスを取りつつ、場合によっては、増加する開発費に伴う事業リスクを軽減するため、他社との共同での投資も考えたいと思います。また、AIの創薬への取り組み等、最新のトレンドにも注目し、さらに必要に応じて、特定資産の売却や導出により、中核となる事業に注力すること等も考えます。

ご質問と回答 5

質問

F351の第2臨床試験の結果は、いつ開示する予定ですか？

回答

今年度末までの分析結果開示を目標としております。
現在、主要評価項目等についての解析中です。

ご質問と回答 6

質問

子会社Cullgenも上場を目指しているのでしょうか？

回答

既に類似した技術を持つ企業が上場しており、同社の上場は選択肢のひとつとして考えております。

ご質問と回答 7

質問

米中貿易摩擦による事業への影響はありますか？

回答

中国の製品を米国に販売する、米国の製品を中国に販売するということが、現時点では無いため、事業、業績に与える軽微なものですが、一方、為替についての影響を避けるべく細心の注意を払って参ります。

連絡先

● 連絡先

株式会社ジーエヌアイグループ IR担当

E-Mail: infojapan@gnipharma.com