

# ホリスティック企業レポート

コーディア セラピューティクス  
Chordia Therapeutics

190A 東証グロース

新規上場会社紹介レポート  
2024年6月18日発行

一般社団法人 証券リサーチセンター



証券リサーチセンター  
審査委員会審査済 20240617

**がん領域に特化して新しい作用機序による低分子医薬品を開発  
白血病適応の主力パイプラインの第2臨床試験入りで早期の承認申請を目指す**アナリスト: 鎌田 良彦 +81(0)3-6858-3216  
レポートについてのお問い合わせはこちら info@stock-r.org

## 【190A Chordia Therapeutics 業種: 医薬品】

決算期	売上高 (百万円)	前期比 (%)	営業利益 (百万円)	前期比 (%)	経常利益 (百万円)	前期比 (%)	純利益 (百万円)	前期比 (%)	EPS (円)	BPS (円)	配当金 (円)
2022/8	-	-	-1,844	-	-1,776	-	-1,779	-	-39.8	-72.4	0.0
2023/8	2,500	-	212	-	225	-	223	-	4.0	79.3	0.0
2024/8 予	-	-	-2,273	-	-2,278	-	-2,280	-	-40.4	-	0.0

- (注) 1. 単体ベース、2024/8期は会社予想  
2. 2023年6月2日付で1:200の株式分割を実施、1株当たり指標は遡って修正  
3. 2024/8期予想EPSは、公募株式数(9,100千株)を含めた予定期中平均株式数で算出

【株式情報】	【会社基本情報】	【その他】
株価 171円 (2024年6月17日)	本店所在地 神奈川県藤沢市	【主幹事証券会社】
発行済株式総数 65,543,800株	設立年月日 2017年10月12日	SBI証券
時価総額 11,208万円	代表者 三宅 洋	【監査人】
上場初値 255円 (2024年6月14日)	従業員数 21人 (2024年3月)	有限責任 あずさ監査法人
公募・売却価格 153円	事業年度 9月1日~翌年8月31日	
1単元の株式数 100株	定時株主総会 事業年度終了後3カ月以内	

## &gt; 事業内容

## ◆ がん領域に特化して新しい作用機序による低分子医薬品を開発

Chordia Therapeutics (以下、同社)は、武田薬品工業(4502 東証プライム)のベンチャー支援制度を活用し、三宅洋社長を始めとする武田薬品工業の研究者達によって設立されたバイオベンチャーである。がん領域に特化して新しい作用機序による低分子のファーストインクラスの医薬品の研究開発を行っている。ファーストインクラスの医薬品とは、新規性・有用性が高く、従来の治療体系を大幅に変えるような革新的な医薬品を指す。

## ◆ RNA 制御ストレスを標的としたがん治療薬の研究開発を推進

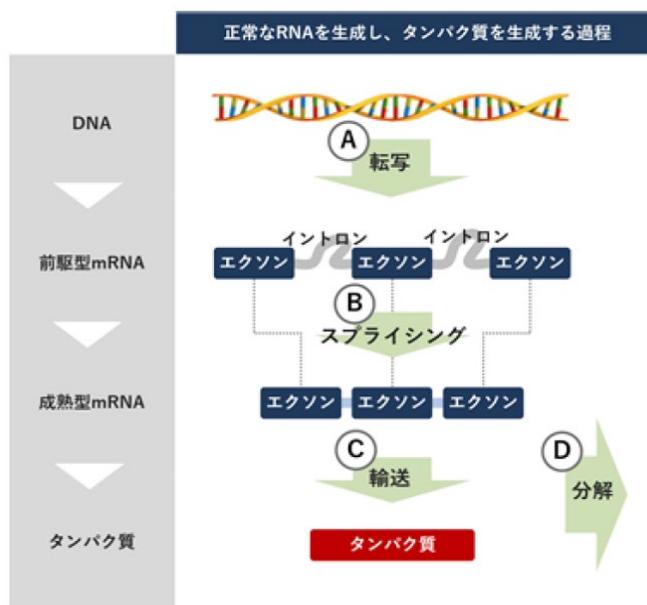
同社の研究開発は、近年、発見されたがんの特徴である、RNA 制御ストレスを標的にしている。RNA 制御ストレスとは、細胞内でタンパク質の生成を行う RNA の生成過程に乱れが生じ、異常な RNA が蓄積し、細胞に負荷がかかっている状態を指す。がん細胞では正常細胞に比べて過剰に負荷がかかっている状態にあり、異常な RNA を更に生成、蓄積させることでがん細胞を選択的に死に至らしめるという作用機序により、抗がん効果を得る。

図表 1 は、タンパク質生成の設計図である DNA を基に RNA を生成し、タンパク質を生成する過程を示している。DNA から前駆型メッセンジャー RNA (mRNA) が生成される転写 ①、前駆型 mRNA のうち、タンパク質生成に必要なエクソン部分のみを取り出して成熟型 RNA を生成するスプライシング ②、タンパク質生成に必要なアミノ酸を、タンパク質を生成するリボソームに運ぶ輸送 ③、役割を終えた RNA の分解 ④の過程を経る。同社の RNA ストレス制御を標的とする医薬品は、これら転写、スプライシング、輸送、分解

の各過程を調節する物質を阻害することで、がん細胞での異常な RNA の生成、蓄積により、がん細胞を死滅させることを目指している。

RNA 制御ストレスを標的としたがん治療薬はまだ医薬品として市販されておらず、同社はこの分野でのリーディングカンパニーとして研究開発を進めている。

**【図表 1】 RNA 生成によりタンパク質を生成する過程のイメージ**



(出所) 届出目論見書

**◆ 事業モデルと収益構造**

同社は医薬品の探索研究、前臨床研究、臨床研究といった研究業務、特に候補化合物の探索、評価、最適化、臨床試験に集中し、基礎研究、原薬や製剤の製造、流通・販売等は外部の協力先に委託している。

開発中の医薬品については、外部の製薬会社にライセンス供与する場合と、自社で臨床試験、承認申請を行い、外部委託先との連携により製造・販売までを行う 2 つの戦略を取っている。

外部の企業にライセンス供与する場合には、ライセンス契約締結時の契約一時金、パイプラインの開発状況に応じた開発マイルストーン、上市した医薬品が契約時に設定した販売目標を達成した場合の販売マイルストーン、医薬品の売上高に一定比率を乗じたロイヤリティ収入を得る。自社で製造、販売を行う際には、医薬品販売の利益を得ることになる。

基本的には海外市場については、医薬品として承認・上市の可能性が高まる第 2 相臨床試験の段階で、海外の製薬企業にライセンス提供し、国内市場については、製薬会社として製造・販売を行う方針としている。

国内市場での製造・販売を目指し、塩野義製薬(4507 東証プライム)の傘下で医薬品の製造受託を行うシオノギファーマや医薬品卸事業を行うメディカルホールディングス(7459 東証プライム)と提携している。

◆ **開発パイプライン**

同社は武田薬品工業からライセンスを譲渡された 4 つのパイプラインと、自社開発した 1 つのパイプラインの合計 5 つのパイプラインを保有している(図表 2)。

【図表 2】開発パイプライン



(注) 1.CTX-177 の標的の MALT1 については、RNA 制御ストレスを対象としていない  
 2.CS:Candidate Selection の略。臨床候補化合物選定  
 3.IND:Investigational New Drug Application の略。治験申請  
 4.LPI:Last Patient In の略。被験者登録の終了

(出所)届出目論見書

1) **CTX-712(CLK 阻害薬)**

CTX-712(CLK 阻害薬)は、急性骨髄性白血病(acute myeloid leukemia、以下、AML)や骨髄異形成症候群(myelodysplastic syndromes、以下、MDS)等の血液がんや、卵巣がん等の固形がんを対象に開発を進めている CLK 阻害薬である。RNA のスプライシングを調節している酵素である CLK を阻害することで、正常なスプライシングが行われなくなり、mRNA が細胞に異常に蓄積され、もともと過剰なストレスがかかっていたがん細胞を選択的に死滅させる、という作用機序を持っている。

CTX-712 は、国内で第 1 相臨床試験、米国で第 1/2 相臨床試験を実施中である。国内の第 1 相臨床試験は 18 年 8 月に開始され、23 年 8 月に全ての患者登録が完了し、固形がん 46 名、血液がん 14 名の合計 60 名の患者への投薬が行われた。米国では 24 年 2 月時点で 12 症例の登録を終えている。

国内第 1 相臨床試験の結果については、24 年 4 月の米国がん学会で 23 年 11 月時点までの 46 名の固形がん患者、14 名の血液がん患者への投薬結果が報告された。有効性については、AML/MDS 患者 14 名のうち 6 名でがんの規模が小さくなったり、消滅したりという有効性が認められ、卵巣がんでは 14 名中 4 名に有効性が認められた。奏効率は AML/MDS で 42.8%、卵巣がんでは 28.6%の結果を示した(図表 3)。

### 【図表 3】CTX-712 の国内第 1 相臨床試験結果

対象	患者数 (a)	有効性 (b)	奏効率 (b/a)
AML/MDS	14名	6名	42.8%
卵巣がん	14名	4名	28.6%

(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成

こうした第 1 相臨床試験結果を受け、今後は AML を対象に日米の第 2 相臨床試験を優先して進める考えである。

CTX-712 については、武田薬品工業とのライセンス譲渡契約に基づき、現時点では、全世界での独占的な研究、開発、製造及び商業化の権利を同社が保有している。

白血病を含む造血器腫瘍、及び固形がん患者の中で、奏功が期待される患者を層別するためのバイオマーカーの共同研究を京都大学、国立がん研究センターと進めている。

### 2) CTX-177 (MALT1 阻害薬)

CTX-177 (MALT1 阻害薬)は、難治性リンパ腫を対象にした、MALT1 阻害薬である。MALT1 はリンパ腫の異常増殖をもたらす転写因子 NF- $\kappa$ B を活性化する。CTX-177 は MALT1 を阻害することにより NF- $\kappa$ B を抑制し、抗がん作用を生み出すと考えられている。CTX-177 は RNA 制御ストレスを標的とした候補化合物ではない。

20 年 12 月に小野薬品工業(4528 東証プライム)とライセンス契約を結び、全世界での開発、製造、販売権を譲渡した。現在、小野薬品工業が米国で非ホジキンリンパ腫もしくは慢性リンパ性白血病患者を対象に第 1 相臨床試

験を進めている。

### 3) CTX-439(CDK12 阻害薬)

CTX-439(CDK12 阻害薬)は mRNA の転写を調節している酵素の CDK12 を阻害することにより、細胞内で異常な mRNA が蓄積し、がん細胞を死滅させる作用機序を持つ。マウスを使った非臨床試験で、乳がんや卵巣がん、その他の固形がんについて抗がん作用を示している。現在、第 1 相臨床試験に向けた準備段階にある。

CTX-439 については、武田薬品工業とのライセンス譲渡契約に基づき、現時点では、全世界での独占的な研究、開発、製造及び商業化の権利を同社が保有している。

### 4) GCN2 阻害薬

GCN2 はタンパク質生成に必要なアミノ酸のリボソームへの輸送を行うトランスファーRNA (tRNA)を調節している。GCN2 阻害薬は、tRNA の輸送に異常を生じさせ、異常な tRNA が細胞内に蓄積し、もともと負荷がかかっていたがん細胞が選択的に死滅する作用機序を持つ。現在は、探索研究段階にある。

GCN2 阻害薬については、武田薬品工業とのライセンス譲渡契約に基づき、現時点では、全世界での独占的な研究、開発、製造及び商業化の権利を同社が保有している。

## > 特色・強み

### ◆ RNA 制御ストレス標的薬の開発で先行

同社は、RNA ストレス制剤を標的とした医薬品の開発で先行しているが、その背景に二つの要因がある。

一つ目は、武田薬品工業が 08 年に買収した米国 Millennium Pharmaceuticals 社が開発した多発性骨髄腫等を対象とした、プロテアソーム阻害薬のベルケイドである。ベルケイドは、がん細胞が作る異常なたんぱく質の分解を行っているプロテアソームを阻害することで、がん細胞に異常なたんぱく質が蓄積して死滅するという作用機序であり、従来のがん細胞を除去したり、縮小させるという作用機序とは異なる作用機序の医薬品開発で経験があった。

二つ目は、がんの特徴としての RNA 制御ストレスの発見は、11 年に京都大学の小川誠司教授が、RNA のスプライシング異常が発がんにつながることを発見したことに基づくが、武田薬品工業が、RNA 制御ストレスを標的とした CLK 阻害薬の研究・開発について、15 年から小川教授と共同研究を開始したことである。

◆ 多種のがんへの適応が見込まれる RNA 制御ストレス標的薬

がん細胞の RNA 制御ストレスは、がん細胞に共通して見られる特徴であるため、将来的には、現在、開発を進めている白血病や卵巣がん以外のがん種にも適応が広がる可能性がある。

> 事業環境

◆ AML の日米欧の年間新規罹患者は 29 年予想で約 5 万人

同社が優先的に開発を進めている、CTX-712 の適応対象である AML の年間の新規罹患者数は、GlobalData「Acute Myeloid Leukemia Epidemiology Forecast to 2029」によれば、20 年には日本が約 9,000 人、米国が約 22,000 人、欧州主要国(フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、イギリス)が 13,500 人で合計約 44,500 人であった。29 年には年間約 5 万人になると予想されている。

(注 1)ある疾患に罹患した患者の生存率が、人口全体の生存率と比較してどの程度低いかを示した生存率

AML 患者の 5 年相対生存率<sup>注1</sup>は、がんの中では、膵臓がん、胆のう・胆管がんに次いで低く、新しい治療法の開発が求められている。

◆ 競合

CTX-712 と競合する CLK 阻害薬を開発している会社としては、米国の Biosplice Therapeutics、Redona Therapeutics、BlossomHill Therapeutics がある。Biosplice Therapeutics の開発パイプラインは第 1 相臨床試験段階、Redona Therapeutics、BlossomHill Therapeutics の開発パイプラインは前臨床試験段階にある。

> **業績**

◆ **過去の業績推移**

同社の過去 5 期間の業績を見ると、21/8 期と 23/8 期に事業収益が計上されており、それ以外の期では事業収益は計上されていない。21/8 期の 800 百万円の事業収益は、小野薬品工業に CTX-177 のライセンスを供与したことにとまなう契約一時金収入である。23/8 期の 2,500 百万円の事業収益は、小野薬品工業が米国で CTX-177 の第 1 相臨床試験を開始したことに伴う開発マイルストーン収入であり、23/8 期には初めて利益を計上した。

【図表 4】業績推移



(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成

◆ **24 年 8 月期会社計画**

同社の 24/8 期計画は、事業収益は見込んでおらず(前期は 2,500 百万円の事業収益)、営業損失 2,273 百万円(前期は 212 百万円の利益)、経常損失 2,278 百万円(同 225 百万円の利益)、当期純損失 2,280 百万円(同 223 百万円の利益)である(図表 5)。

【図表 5】24 年 8 月期会社計画

	23/8期		24/8期会社計画		
	金額 (百万円)	構成比 (%)	金額 (百万円)	構成比 (%)	前期比 (%)
事業収益	2,500	100.0	-	-	-
事業費用	2,287	91.5	2,273	-	-0.6
研究開発費	1,996	79.8	1,948	-	-2.4
販売費及び一般管理費	291	11.6	324	-	11.3
営業利益	212	8.5	-2,273	-	-
営業外収支	13	-	-5	-	-
経常利益	225	9.0	-2,278	-	-
当期純利益	223	8.9	-2,280	-	-

(注)端数処理の関係で合計と一致しない

(出所)「東京証券取引所グロース市場への上場に伴う当社決算情報等のお知らせ」を基に証券リサーチセンター作成

事業収益は、パイプラインの開発マイルストーン等のイベントが発生しないため、見込んでいない。

事業費用のうち、研究開発費は、CTX-712の米国での第1/2相臨床試験の進捗により費用が増加する一方で、国内第1相臨床試験の症例登録完了により費用が減少しているため、1,948百万円(前期比2.4%減)を見込んでいる。

販売費及び一般管理費は、上場関連費用の増加等により324百万円(前期比11.3%増)を見込んでいる。この結果、事業費用は2,273百万円(同0.6%減)、営業損失は2,273百万円(前期は212百万円の利益)の計画である。

営業外収益では日本医療研究開発機構からの補助金収入17百万円、営業外費用で株式交付費22百万円を見込み、経常損失は2,278百万円(前期は225百万円の利益)。医薬品研究及び米国での臨床試験では海外の委託先と提携しており、為替変動リスクがあるが、為替の差損益は織り込んでいない。

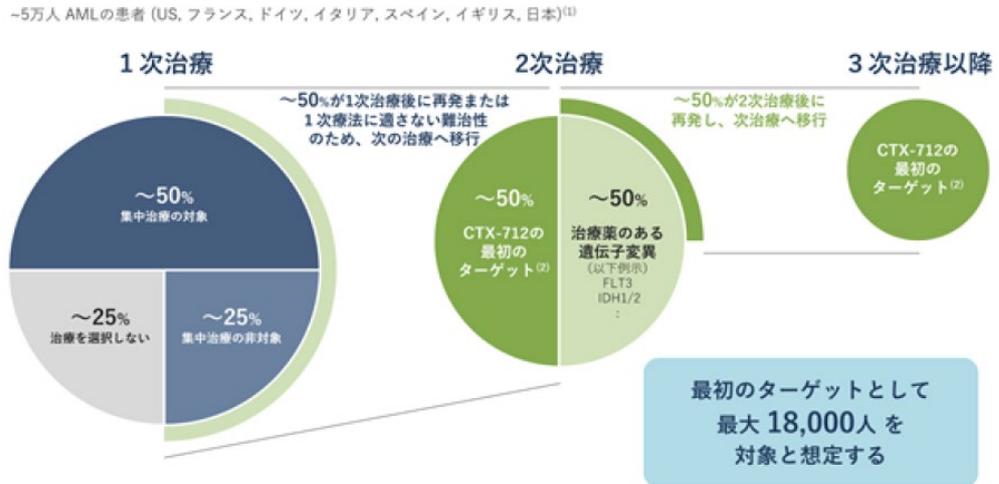
特別損益は見込んでおらず、当期純損失は2,280百万円(前期は223百万円の利益)の計画である。

#### ◆ 成長戦略

CTX-712については、AMLを対象とした開発に優先的に取り組み、米国での第1/2相臨床試験と並行し、国内の第2相臨床試験を行う計画である。その後は医療上の有用性が高く、第2相臨床試験で安全性、有効性が確認された医薬品に対する条件付き早期承認制度等を活用し、1次治療が適さない又は1次治療後に再発したAML患者を対象とした2次治療以降の医薬品として、早ければ26年中の承認申請を目指す考えである。

同社では、CTX-712の対象となるAML患者数について、日本、米国、欧州主要国で29年に約5万人と見込まれる年間新規罹患患者のうち、最大18,000人が対象となると想定している。その計算根拠は、①1次治療の種類に関わらず、AML患者のおよそ50%までが2次治療を受け、既存薬が存在する遺伝子異常を持つ患者以外の、2次治療患者のおよそ50%までがCTX-712の対象となる、②3次治療以降の患者数がCTX-712の対象となる、というものである(図表6)。

【図表6】CTX-712の対象となる想定 AML 患者数



(注) 1.GlobalData「AML Epidemiology Forecast to 2029」の29年予測値の概算値

2.1次治療の種類に関わらず AML 患者のおよそ 50%までが2次治療を受け、治療薬のある遺伝子変異を持たない2次治療患者のおよそ 50%までが CTX-712 の潜在的な対象となり、さらに3次治療以降を必要とする患者数を潜在的な対象としている

(出所)届出目論見書

国内市場については、シオノギファーマやメディパルホールディングスとの連携のもと、製造・販売までを同社が行う考えである。海外市場については、第2相臨床試験の結果を受けて、基本的には海外企業にライセンス供与を行う考えであるが、自社での製造・販売の可能性も残しながら検討する考えである。

小野薬品工業にライセンス供与した CTX-177 は、今後の開発進捗及び、製造承認、販売に伴い、開発マイルストーンと販売マイルストーンで最大 496 億円を受け取る契約となっている。その他、上市後は、売上高に応じたロイヤリティも見込まれる。次の開発マイルストンの計上は、米国での第2相臨床試験の開始になる見込みである。

> 経営課題/リスク

◆ 開発の遅延や中止について

同社の主力パイプラインの CTX-712 と小野薬品工業にライセンス供与した CTX-177 は共に第 1 相臨床試験の段階にある。今後、第 2 相臨床試験に進む中で、想定する効果がでなかったり、副作用の発生等により、開発が遅延したり中止となるような場合には、同社の業績に影響を与える可能性がある。

◆ 競合他社の開発状況

同社は、RNA 制御ストレス標的薬として市販される最初の薬剤を目指して、AML を適応とした CTX-712 の開発を優先させる計画である。この結果、競合他社が、他の RNA 制御ストレスを標的とする分野で開発を進めた場合、同社の他のパイプラインの開発計画に影響を与える可能性がある。

◆ ベンチャーキャピタル等の株式保有比率について

オーバーアロットメントを考慮しない、上場後のベンチャーキャピタル等の株式保有比率は 52.8%になると証券リサーチセンターでは試算している。ベンチャーキャピタル等が短期間に大量の株式を売却した場合、同社株式の需給バランスが悪化し、株価が不安定となる可能性がある。

【図表7】財務諸表

損益計算書	2022/8		2023/8		2024/8 2Q累計	
	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)
事業収益	-	-	2,500	100.0	-	-
事業費用	1,844	-	2,287	91.5	809	-
営業利益	-1,844	-	212	8.5	-809	-
営業外収益	94	-	25	-	11	-
営業外費用	27	-	12	-	3	-
経常利益	-1,776	-	225	9.0	-801	-
税引前当期(四半期)純利益	-1,776	-	225	9.0	-801	-
当期(四半期)純利益	-1,779	-	223	8.9	-802	-

貸借対照表	2022/8		2023/8		2024/8 2Q	
	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)
流動資産	4,482	99.6	4,891	99.6	3,885	99.6
現金及び預金	4,254	94.6	4,799	97.8	3,746	96.0
売上債権	-	-	-	-	-	-
棚卸資産	-	-	-	-	-	-
固定資産	16	0.4	17	0.3	16	0.4
有形固定資産	8	0.2	4	0.1	3	0.1
無形固定資産	4	0.1	2	0.0	1	0.0
投資その他の資産	4	0.1	10	0.2	11	0.3
総資産	4,498	100.0	4,909	100.0	3,902	100.0
流動負債	221	4.9	408	8.3	204	5.2
買入債務	-	-	-	-	-	-
固定負債	-	-	-	-	-	-
純資産	4,277	95.1	4,500	91.7	3,698	94.8
自己資本	4,251	94.5	4,474	91.1	3,672	94.1

キャッシュ・フロー計算書	2022/8		2023/8		2024/8 2Q累計	
	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)
営業キャッシュ・フロー	-1,704	-	543	100.0	-1,052	-
減価償却費	3	-	6	1.1	2	-
投資キャッシュ・フロー	-14	-	0	0.0	0	-
財務キャッシュ・フロー	3,975	100.0	-	-	-	-
配当金の支払額	-	-	-	-	-	-
現金及び現金同等物の増減額	2,256	100.0	544	100.0	-1,052	-
現金及び現金同等物の期末残高	4,254	100.0	4,799	100.0	3,746	100.0

(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成