

シンポジウム | イノベーション共創プログラム (CIP) : 未来の医療を支えるバイオベンチャーの新たな戦略

■ 2025年3月28日(金) 13:20 ~ 15:40 ■ [E]F402(第2学舎 4号館 [4階] F402)

## [[E]F402-3pm] 未来の医療を支えるバイオベンチャーの新たな戦略

座長、シンポジウム関係者：後藤 佑樹、菅 裕明、大野 修、湯村 秀一

近年、分子レベルでの疾患の発症メカニズムの理解により、従来の手法では治療が困難であったターゲットに対する新たな医薬品や治療法の開発が進んでいます。その背景として、創薬エグジティブの選定時の著しい増加や、情報科学技術の進化等、従来の医薬品開発に対する画期的な手法の確立が挙げられます。このセッションでは、新たな戦略を通じて未来の医療に貢献するバイオベンチャーの代表の方々にご講演をお願いし、議論します。

本セッションは午後、夕刻に実施されます。

聴講後の[アンケート](#)へのご協力をお願いいたします。

13:20 ~ 13:30

開会挨拶

◆ 日本語 ◆ 依頼講演

13:30 ~ 14:10

[[E]F402-3pm-01]

mRNAに対して各種の創薬を進めるVeritas In Silico

○中村 慎吾<sup>1</sup> (1. 株式会社Veritas In Silico)

14:10 ~ 14:15

休憩

◆ 日本語 ◆ 依頼講演

14:15 ~ 14:55

[[E]F402-3pm-02]

CLK阻害薬CTX-712の研究開発  
スピンアウトバイオベンチャーの挑戦○三宅 洋<sup>1</sup> (1. Chordia Therapeutics株式会社)

14:55 ~ 15:00

休憩

◆ 日本語 ◆ 依頼講演

15:00 ~ 15:40

[[E]F402-3pm-03]

バイオ3Dプリンタで切り拓く再生医療と新産業の未来  
- 細胞から希望をつくる！サイフューズの挑戦 -○秋枝 静香<sup>1</sup> (1. 株式会社サイフューズ)

## mRNA に対して各種の創薬を進める Veritas In Silico

(株式会社 Veritas In Silico<sup>1</sup>) ○中村 慎吾<sup>1</sup>

Introduction to Veritas In Silico, the emerging biotech focusing on mRNA (<sup>1</sup>*Veritas In Silico Inc.*) ○Shingo Nakamura,<sup>1</sup>

Veritas In Silico is a biotech company working to create small molecule drugs and nucleic acid drugs that target mRNAs, with the aim of creating a society where every patient, especially those with diseases that currently have no satisfactory treatment, can look forward to a brighter future. Our proprietary drug discovery technology platform *ibVIS*<sup>®</sup>, consists of the identification of target sites starting with the structural analysis of mRNAs, screening of compounds, measurements of compounds' binding to RNAs and their activities, and the optimization of the obtained compounds. These are carried out by our RNA specialists and supporting software such as rule-based AI. Our company is together managed by a business development team that links these research capabilities to business, a public relations and investor relations team that appropriately discloses our business to society and receives appropriate evaluation, and an administration team that supports these activities. Under this framework, we aim to sustainably provide as many treatments as possible, as early as possible. Since going public last year, we have been focusing especially on creating pipelines as well as conducting our current platform business.

*Keywords* : mRNA; mRNA-targeted drug discovery; small molecule drug; antisense oligonucleotide; rule-based AI

Veritas In Silico は、どんな疾患の患者さまも治療法がないと諦めたり、最適な治療が受けられないと嘆いたりすることのない、そんな希望に満ちたあたたかい社会の実現を目指し、mRNA を標的とした低分子医薬品および核酸医薬品の創出に取り組むバイオテック企業です。その根幹は、mRNA の構造解析から始まるターゲット部位の同定、化合物スクリーニング、化合物の RNA への結合の測定と活性測定、さらには得られた化合物の最適化よりなる創薬技術プラットフォーム *ibVIS*<sup>®</sup> です。これらが、RNA を専門とする研究者と、研究者を支えるルールベースド AI 等のソフトウェアによって実施されています。こうした研究能力を、継続する事業につなげる事業開発、さらに事業を社会に適切に開示して適切に評価いただく広報・IR 活動、これらを支える本社管理機能によって、当社は運営されています。これにより、できるだけたくさんの方の治療法をできるだけ早期に作りつつ、持続的に治療法を提供することを目指しています。本講演では、本年の上場以降、主として低分子医薬品の創出を行うプラットフォーム事業だけでなく、核酸医薬品等のパイプラインの創出にも大いに力を入れている現状をご紹介します。

1) Discovery of RNA-targeted small molecules through the merging of experimental and computational technologies. E. C. Morishita, *Expert Opin Drug Discov.* **2023**, 18(2), 207-226.

2) Probing RNA-Small Molecule Interactions Using Biophysical and Computational Approaches. A. Shino, M. Otsu, K. Imai, K. Fukuzawa, E. C. Morishita, *ACS Chem Biol.* **2023**, 18(11), 2368-2376.

3) Recent applications of artificial intelligence in RNA-targeted small molecule drug discovery. E. C. Morishita, S. Nakamura, *Expert Opin Drug Discov.* **2024**, 19(4), 415-431.

## CLK 阻害薬 CTX-712 の研究開発 スピンアウトバイオベンチャーの挑戦

(Chordia Therapeutics 株式会社) 三宅 洋  
Research and Development of CLK inhibitor CTX-712, Challenge of the spin-out bio company  
(Chordia Therapeutics Inc.) Hiroshi Miyake

Chordia Therapeutics is a biotech company established in November 2017 as a spin-out from Takeda Pharmaceutical Company. Chordia is dedicated to developing a First in Class small molecule drug which has novel mode of action to address unmet medical needs in the field of oncology. We achieved the initial public offering at growth market of Tokyo Stock Exchange on June 14<sup>th</sup> 2024.

Our lead pipeline, rogocekib (a.k.a. CTX-712), is an imidazopyridine derivative, selective CLK kinase inhibitor. Rogocekib has unique mode of action altering mRNA splicing to induce excessive RNA deregulation stress, leading to the cancer cell death. Clinical Proof of Concept was demonstrated in First in Human Phase 1 study conducted in Japan. Currently, Phase 1/2 clinical study in patients with acute myeloid leukemia and myelodysplastic syndrome is underway in US.

We are passionate about our mission to create the First in Class, novel anti-cancer drug originating from Japan.

*Keywords : bio company; spin-out; small molecule; oncology*

Chordia Therapeutics 株式会社は 2017 年 11 月に武田薬品工業株式会社からスピンアウトして創業したバイオベンチャーです。当社は満たされていない医療ニーズを充足させよう、新規作用機序を有するファーストインクラスの低分子抗がん薬の開発に取り組んでおります。2024 年 6 月 14 日に東京証券取引所のグロース市場に上場させていただきました。

当社のリードパイプラインであるロゴセキブ (CTX-712) はイミダゾピリジン誘導体の選択的な CLK キナーゼ阻害薬です。ロゴセキブは mRNA のスプライシングを変化させて過剰な RNA 制御ストレスを発生させることによってがん細胞を死滅させる全く新しい作用機序を有しています。日本で実施した First in Human の第 1 相臨床試験において、Proof of Concept を確認することができました。現在は米国において、急性骨髄性白血病や骨髄異形成症候群の患者を対象とした第 1/2 相臨床試験を実施中です。

日本発で世界初の新しい抗がん薬を生み出すための当社の挑戦をご紹介します。

バイオ 3D プリンタで切り拓く再生医療と新産業の未来  
- 細胞から希望をつくる！サイフューズの挑戦 -

株式会社サイフューズ 秋枝 静香

「細胞×3D プリンタ＝再生医療と新しい産業の創出」

科学技術を実用化し、医療として新しい治療法の選択肢を患者様へお届けする。アカデミア発のアイデア・基礎研究を、研究開発～臨床開発～実用化へと繋げ、医療・産業として新しい市場・社会を構築し、明るい未来社会を創るサイフューズの取り組みについてご紹介したい。

株式会社サイフューズはバイオ 3D プリンティングの独自のプラットフォーム技術を用いて、細胞のみから成る立体的な組織・臓器を開発し、再生・細胞医療という新しい医療ならびに新しい産業を創出することで社会貢献を目指す再生医療ベンチャーである。2010年の創業以来、バイオ 3D プリンタをはじめとする「デバイス」及び「再生医療等製品」「3D 細胞製品」等の開発・販売をベースにプラットフォーム技術の普及を進め、現在、北米・欧州をはじめとする多くの研究機関や事業会社と共に再生医療という新しい市場の構築に取り組んでいる。

開発したバイオ 3D プリンタ「Regenova®」及び「S-PIKE®」は医療・創薬・食品分野等、様々な領域において応用利用され、新たな 3D 細胞製品の開発が加速している。当社のバイオ 3D プリンタは、ほとんどの細胞種が元来持つ細胞凝集現象を利用した細胞凝集塊（スフェロイド）を用いるもので、人工材料を用いることなく、様々なサイズ・デザインの立体組織を構築することが可能であり、現在、神経<sup>1</sup>・骨軟骨・血管等、複数領域において臨床開発が進んでいる。

「細胞から希望をつくる！」

産学官ならびに医工連携、バイオロジーとエンジニアリングの技術を融合させた独自の技術開発・パートナーシップ戦略により、細胞と人々の英知を凝集させ、新しい医療・治療法の選択肢、新しい社会の創出を目指す、サイフューズの取り組みについて、大学発ベンチャーとしての 15 年の歩みと共にご紹介したい。

(参考文献)

[1] Nerve regeneration using the Bio 3D conduit fabricated with spheroids.

Ikeguchi R, Aoyama T, ..Miyazaki Y, Akieda S, Ikeya M, Nakayama K and Matsuda S  
Journal of Artificial Organs, volume 25, pages289–297 (2022)

