



株式会社ジーエヌアイグループ

2024年10月21日

F351と今後について

患者の皆様に

新たな希望を



取締役・代表執行役社長 兼 CEO

イン・ルオ Ph.D. Ying Luo

中国系アメリカ人として、アンメット・メディカル・ニーズ（満たされていない医療ニーズ）に対する新しい治療薬の開発のために、日本、アメリカ、中国の製薬業界のユニークな強みを活用し、新しい収益性の高いビジネスモデルを開拓。

1991年にコネチカット大学保健センターから分子生物学/生物医学の博士号を取得。30年以上のキャリアの中で35件以上の研究結果や出版物の共著者であり、16件以上の特許における発明者でもある。

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番2号
日本橋本町Y Sビル3階

■ 設立

2001年11月

■ 資本金

13,218 百万円(2024年6月末現在)

■ 上場取引所

東証グロース市場
(2007年8月上場/証券コード: 2160)

■ 主な事業

グローバルな医薬品の研究開発、製造・流通、
生体材料事業

■ 代表取締役社長兼CEO

イン・ルオ Ph.D.

■ 従業員数（グループ全体）

960名(2024年6月末現在)

■ 主な拠点

日本・アメリカ・中国
オーストラリア

グローバル 中堅製薬企業へ

製薬・創薬



2023年 上場済

創薬



2024年 上場予定

メドテック



上場準備



各社のバリュエーション顕在化



ジーエヌアイグループのバリュエーション

**グローバル中堅製薬企業へ**

第1章

B型肝炎に苦しむ患者の皆様に

希望を届ける

グローバル中堅製薬企業へ

第1章 いよいよ最終幕へ

B型肝炎患者を救いたいという思いから始まった長い旅が完結へ

第1段階

第2段階

第3段階(2021年～将来)

最終段階(将来)

アイスーリュイ 販売開始

- ・2005年
肺線維症治療薬アイスーリュイ第1相臨床試験開始
- ・2014年
アイスーリュイ販売開始

アイスーリュイ 販売拡大

- ・2017年
アイスーリュイ保険収載
- ・2020年
API(原薬)製造工場正式稼働

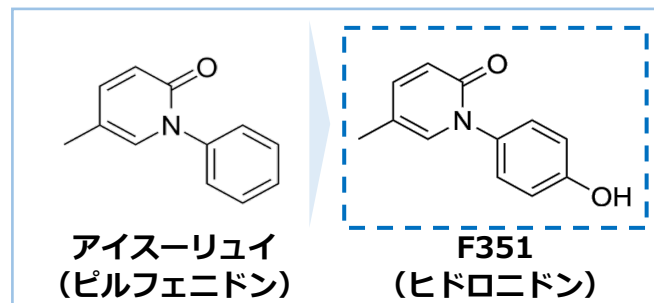
F351 販売開始に向けて

- ・2021年
F351画期的新薬に指定
- ・2024年10月
第3相臨床試験終了
- ・トップラインデータ公表
- ・上市の準備へ

F351 肝線維症の患者に希望を

- ・F351保険収載
- ・アイスーリュイの販売ネットワーク活用
- ・適用拡大(NASH)

アイスーリュイとF351は類似構造体



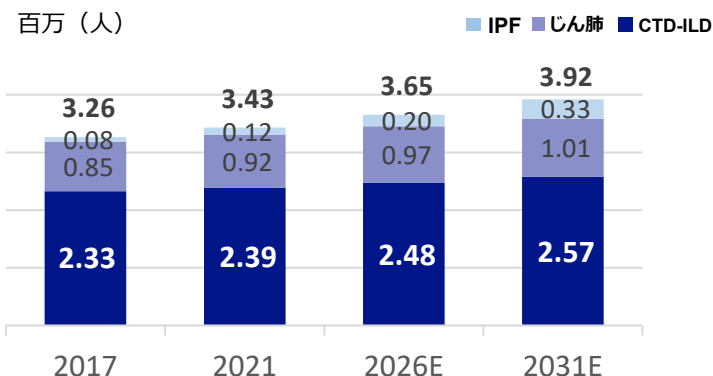
グローバル中堅製薬企業へ

第1章 F351の想定スケジュール

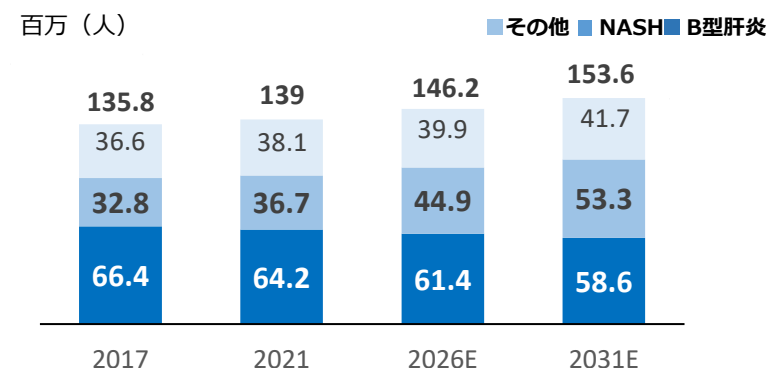
日程	想定スケジュール*
2024年10月	第3相臨床試験終了
臨床試験終了から2～3か月後	トップラインデータ公表
2025年 データ公表から2～3か月後	NDA（新薬承認申請）
NDAから6～8か月後	NDA承認

*:スケジュールは現時点での想定であり、変更が生じる場合があります。

肺線維症患者数 推移（中国）



肝線維症患者数 推移（中国）



Gyre/BCの今後

- 2025年 NASH対象臨床試験を実施予定(中国 第3相、米国 第2a相)
- アイスーリュイ適応拡大
- 臓器疾患を対象とした他新薬開発

品目	適応症	場所	前臨床	第1相	第2相	第3相	NDA	上市済
F351 (ヒドロニドン)	NASHに関連する肝線維症	米国			2025年第2a相臨床試験を開始予定			
	B型慢性肝炎に起因する肝線維症						2023年10月被験者登録完了	
アイスーリュイ (ピルフェニドン)	特発性肺線維症 (IPF)							
	皮膚筋炎に伴う間質性肺疾患 (DM-ILD)							
	全身性硬化症に伴う間質性肺疾患 (SSc-ILD)							
	じん肺	中国						
	糖尿病性腎臓病 (DKD)							
F573	急性肝不全(ALF)/慢性肝不全の急性増悪(ACLF)				2023年3月第2相臨床試験開始			
F528	慢性閉塞性肺疾患 (COPD)							
F230	肺動脈性肺高血圧症 (PAH)				2024年5月臨床試験開始申請承認済			

第2章

グローバルで苦しむがん患者の皆様に

新たな希望を

グローバル中堅製薬企業へ

第2章 本編へ

cullgen

先端技術による独自のプラットフォームを活用した
標的タンパク質分解誘導剤の開発

ファースト・イン・クラス
新規化学化合物

大手製薬企業が認める開発能力

がんだけでなく、痛みや自己免疫疾患にも適応可能な
独自創薬プラットフォーム

グローバル中堅製薬企業へ

第2章 本編へ

大手製薬企業から認められる開発能力



アストラゼネカ社からの出資
役員受入れ(2023年)



アステラス社との戦略的提携開始(2023年)

35 Million USD
(約49億円*)
契約一時金

1.9 Billion USD
(約2660億円*)
契約総額

*:2023年発表時の為替レート(1米ドル=140円)で換算

グローバル中堅製薬企業へ

第2章 本編へ

① 臨床試験の本格始動

- 2023年7月 第1号 TRK 第1相臨床試験開始
CG001419 (TRK対象の分解薬)
 - 適応症：固形がん
- 2024年10月 第3号 IND承認
CG009301
 - 適応症：悪性血液腫瘍（白血病）
 - TRKに続く3事例目のIND承認

② グローバルでの拡大

- オーストラリア 子会社設立（2024年5月）
→年内 臨床試験開始を目指す
- 今後AI技術を駆使し更なる拡大を目指す

Cullgenの開発パイプライン



グローバル中堅製薬企業へ

【参考】MADRIGAL社の時価総額推移からGYREの将来は？

MADRIGAL社

日付	株価	円換算 (1 USD=150円 で仮定)
2022年12月18日 (第3相臨床試験で良好な結果を発表)	63.8 USD	約2000億円
2022年12月19日	234.83 USD	約7650億円
その後 高値	320 USD	約1兆円

約3.8倍

GYRE

2024年10月18日の時価総額
約1970億円



F351が成功したら
??? 億円

F351第2相臨床試験 トップライン結果の概要 (1/3)

有効性の結果

有効性の解析	プラセボ	F351 : 60mg/回 1日3回	F351 : 90mg/回 1日3回	F351 : 120mg/回 1日3回		
Ishakスコアが1以上低下 52週時(FAS)	11 (11/43, 25.58%)	17 (17/42,40.48%)	23 (23/41,56.10%)	18 (18/41,43.90%)		
Ishakスコアが1以上低下 52週時(PPS)	11 (11/42,26.19%)	17 (17/36,47.22%)	23 (23/35,65.71%)	18 (18/34,52.94%)		
p値	FAS:0.0245、PPS:0.0058					
比率差異 (プラセボ群-F351)% & 95% CI	FAS:		FAS:		FAS:	
	-14.89 (-33.32,4.99)		-30.52 (-48.12,-9.50)		-18.32 (-36.76,1.96)	
	PPS:		PPS:		PPS:	
	-21.03 (-40.20,0.26)		-39.52 (-56.83,-17.26)		-26.75 (-45.78,-4.75)	

当社2020年10月23日開示資料より

F351第2相臨床試験 トップライン結果の概要 (2/3)

有効性の結果 : Ishakスコア= 6 (肝硬変期)の患者に関する追加解析

有効性の解析	プラセボ	F351 (全群併合)
Ishakスコアが1以上低下 52週時(FAS)	1 (1/4,25%)	12 (12/15,80%)
Ishakスコアが1以上低下 52週時(PPS)	1 (1/4,25%)	12 (12/14,85.71%)
p値	FAS:0.0407、PPS:0.0201	
比率差異 (プラセボ群-F351)% & 95% CI	FAS:	
	-55.00 (-79.20,-3.49)	
	PPS:	
		-60.71 (-83.59,-8.97)

当社2020年10月23日開示資料より

F351第2相臨床試験 トップライン結果の概要（3/3）

安全性及び忍容性の結果

- ✓ 有害事象（AEs: Adverse Events）の重症度は概ね軽度から中等度
- ✓ 重篤な有害事象(SAEs: Serious Adverse Events)の発症頻度は、投与群間で同程度
 - プラセボ群4.65%
 - F351:60mg/回1日3回群2.38%
 - F351:90mg/回1日3回群2.38%
 - F351:120mg/回1日3回群7.32%
- ✓ 試験では死亡例なし

お問い合わせ先: 株式会社ジーエヌアイグループ インベスターリレーションズ



: IR@gnipharma.com



: www.gnipharma.com

本資料に記載されている、意見や予測、今後の見通し等は、当社グループが、資料作成時点で入手可能な情報を基にした予想値であり、これらは経済環境、競争状況、新サービスの成否などの不確実な要因の影響を受け、大きく変動することも考えられます。従いまして、実際の業績及び戦略等につきましては、この配布資料に記載されている内容とは、大きく異なる可能性がございますことを、予めご承知おき下さい。また、事前の承諾なしに本資料に掲載されている内容の複製・転用等を行うことを禁止します。