

|| 企業調査レポート ||

## Veritas In Silico

130A 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2026年5月8日(金)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<https://www.fisco.co.jp>

## 目次

■ 要約	01
1. プラットフォーム事業の動向	01
2. パイプライン事業の動向	02
3. DDS「Perfusio」について	02
4. 業績動向	02
5. 中長期の成長戦略	03
■ 会社概要	04
1. 会社概要	04
2. 沿革	04
■ 事業概要	06
1. 事業内容	06
2. プラットフォーム事業	08
3. パイプライン事業	10
4. 医薬品市場の見通し	11
5. 同社の強み	12
■ 事業別の動向	13
1. プラットフォーム事業	13
2. パイプライン事業	14
■ 業績動向	16
1. 2025年12月期の業績動向	16
2. 2026年12月期の業績見通し	17
3. 財務状況	18
■ 中長期の成長戦略	19

## 要約

### 低分子創薬に加え、核酸医薬品を新規DDSと組み合わせ、新たな治療法の確立を目指す

Veritas In Silico<130A>は、独自開発のAI創薬プラットフォーム「aibVIS (エイアイビス)※1」を基盤にした2016年設立のAI創薬バイオベンチャーである。この「治療できないを治療できるにする」技術は、希少疾患向けの核酸医薬品だけでなく、多くの患者さまが抱える疾患に対応する低分子医薬品の創出も可能にしている。複数の製薬会社等と共同創薬研究契約を締結してmRNA標的低分子医薬品※2の創出に取り組むプラットフォーム事業で成長、2024年に東京証券取引所 (以下、東証) グロース市場に上場した。2025年より核酸医薬品の自社パイプライン創出に取り組むパイプライン事業を開始している。

※1 従来、「ibVIS (アイビス)」と呼んでいたが、これまでのルールベースAIに加え、蓄積してきた研究データなどを学習データとしてAIエンジンに組み込んだ複数の新規データ駆動AIの利用も開始したことで、創薬研究がさらに進んだことから、2026年1月より「aibVIS」に改称した。

※2 mRNA：遺伝子情報やタンパク質合成など生命の基盤を形成する重要な分子であるRNA (リボ核酸) のうち、DNAの情報をリボソーム (タンパク質を合成するための細胞内の構造物) に運び、タンパク質の合成を指示する役割を担う。mRNAは、細胞内でタンパク質が合成される際の設計図であり、各タンパク質に対応してそれぞれ個別のmRNAが存在する。mRNA標的低分子医薬品：疾患の原因となるタンパク質に直接作用する従来型の低分子医薬品とは異なり、疾患原因タンパク質の情報をコードするメッセンジャーRNA (mRNA) に作用することでそのタンパク質の生成を阻害し、疾患の抑制などの従来型の低分子医薬品と同等の治療効果を得る医薬品。そのうえで、タンパク質に作用する低分子医薬品が作れなかった疾患が、mRNAを標的とする低分子医薬品によっては治療できるようになる可能性があることから、世界的に注目されている。

#### 1. プラットフォーム事業の動向

プラットフォーム事業における2025年12月期の事業トピックスとしては、塩野義製薬<4507>との共同創薬研究において、従来のタンパク質標的創薬では創出を成し得なかった特異的な作用を示す高活性のヒット化合物を取得し、マイルストーンを達成した点が挙げられる。今後はリード化合物を経て医薬品候補化合物まで最適化するフェーズに進む。mRNA標的低分子医薬品については世界でも上市実績がなく、今後の開発動向が注目される。2026年12月期は外部環境の変化に対応しつつ、新たに農薬市場への展開も視野に入れており、2件の新規契約締結を目指している。

要約

## 2. パイプライン事業の動向

パイプライン事業における2025年12月期の事業トピックスとして、同社初の自社パイプラインとして心臓血管手術後に惹起される虚血性急性腎不全の発症を予防する核酸医薬品に決定したことが挙げられる。現在は急性腎不全の発症を防ぐ有効な予防法がなく、アンメットメディカルニーズの強い領域である。まずは発症リスクの高い65歳以上の高齢者を対象に開発する予定だが、国内の想定市場規模はピーク時の売り上げとして毎年150億円程度を見込んでいる。開発に成功すれば海外への展開や他の虚血性疾患への適応拡大なども検討する。2026年12月期に動物実験を開始する予定で、早ければ2028年からの臨床試験入りを目指す。また、2本目のパイプラインも2026年12月期に決定する。共同研究先である三菱ガス化学<4182>の製造技術も活用して、業界動向に先だちQbD<sup>※</sup>の考え方により設計段階から品質、製造コストを考慮して開発を進める。同社では2027年までに3本のパイプライン創出を目標としている。

<sup>※</sup> QbD：製品設計の段階から製造コストにかかわる製造のしやすさや品質の高さを意識した製品を作り出すための開発プロセス。

## 3. DDS「Perfusio」について

同社は2026年に新規事業開発室を設置し、カテーテルを用いたDDS<sup>※</sup>「Perfusio（パーフェュージオ）」の事業化に着手した。同社が独自に想起したもので、日本での特許も既に取得した。「Perfusio」の特徴は、薬剤を必要な部位にのみ投与・回収できるため全身への投与に比べ、治療効果を高められること、副作用リスクが大幅に軽減できること、薬剤の投与量を極小化できるため薬剤コストを圧縮できること、さらに臨床開発期間を短縮できる可能性などが挙げられる。同社は、まず自社のパイプラインと組み合わせて使用することで保険収載を目指す。また、他の製薬会社においても、これまでに副作用問題などで開発を断念した候補化合物が、「Perfusio」を使用することにより再開できる可能性もあることから、「Perfusio」を第三者へライセンスアウトして収益を獲得することも想定している。まずは、認知度の向上に向けて共同研究のデータを学会などで積極的に情報発信する予定だ。

<sup>※</sup> DDS（ドラッグ・デリバリー・システム）：必要な薬物を必要な時間、適切な場所に届けることを可能にする技術。

## 4. 業績動向

2025年12月期の業績は事業収益が前期比53.2%減の91百万円、営業損失が396百万円（前期は212百万円の損失）となった。マイルストーン収入の減少が主な減収要因となり、研究開発費や販管費の増加もあって損失額が拡大した。

2026年12月期の業績は、事業収益が前期比24.2%増の113百万円、営業損失は569百万円を見込んでいる。事業収益はプラットフォーム事業における研究支援金とマイルストーン収入を見込む。新規共同創薬研究等の契約一時金は計画には織り込んでおらず、新規契約が決まれば上振れ要因となる可能性がある。一方、費用面では研究所移転にかかる一時費用の発生、パイプライン事業の強化に伴う研究開発費の増加、並びに人件費の増加を見込んでおり、損失が続く見通しだ。

なお、2026年4月に武田薬品工業<4502>との共同創薬研究に関する契約終了を発表したが、業績に与える影響は限定的なため、業績計画に変更はない。

要約

5. 中長期の成長戦略

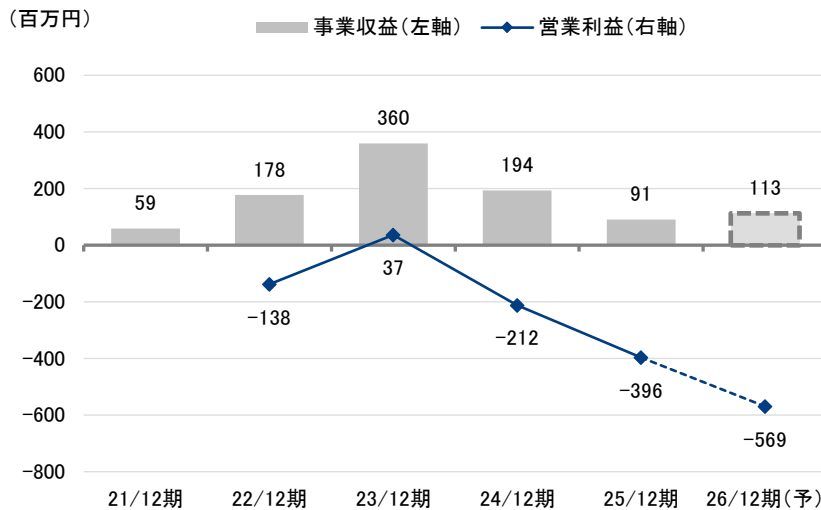
同社は中長期の成長戦略として、プラットフォーム事業とパイプライン事業によるハイブリッド型のビジネスモデルを展開することで成長を目指す。当面は先行投資段階ではあるものの、2028年以降は共同創薬研究プロジェクトの進捗で開発マイルストーンの増加が見込まれるほか、パイプライン事業についても2031年以降は契約一時金やマイルストーン収入などの獲得が期待できる。将来的には研究開発・販売機能も備えたスペシャリティファーマへ進化することによる持続的な成長を目指す。なお、既存の共同創薬研究のプロジェクト※がすべて成功した場合、研究支援金及び研究・開発マイルストーンで最大約100億円、上市後の売上マイルストーンで最大約1,050億円の収益が見込まれている。

※ 東レ<3402>、塩野義製薬、ラクオリア創薬<4579>、武田薬品工業とがん領域や中枢神経疾患、感染症領域等のプロジェクトを進めている。

Key Points

- ・ 2025年5月に塩野義製薬とのプロジェクトでマイルストーン達成
- ・ 心臓血管手術後の虚血性急性腎不全を対象とした核酸医薬品の開発に着手
- ・ 2026年12月期業績は保守的に策定、研究開発費の増加で損失が続く見込み
- ・ ハイブリッド型ビジネスで事業を拡大、2028年以降に成長軌道に

業績推移



出所：決算短信、有価証券報告書よりフィスコ作成

## ■ 会社概要

### AI創薬プラットフォームを基盤に mRNA標的創薬に取り組むバイオテック企業

#### 1. 会社概要

同社は、インシリコRNA構造解析技術をはじめ、複数のルールベースAIと創薬技術を統合した独自開発のAI創薬プラットフォーム「aibVIS」を構築し、主としてmRNA標的医薬品の創出に取り組むバイオテック企業である。同社と契約した製薬会社は「aibVIS」を利用することで、それまでに製薬会社が自社内に蓄積してきた低分子医薬品の創薬技術や経験、化合物ライブラリーなどのインフラをそのまま生かしつつ、従来のタンパク質標的創薬の手法では開発が困難であった疾患を含め、幅広い疾患に適用可能なmRNA標的低分子医薬品の創出に効率的に取り組めるようになる。一方で自社パイプラインの開発にも着手しており、2025年に初の自社パイプラインとなる核酸医薬品候補を発表した。mRNA標的創薬で「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を実現し発展させる」との経営理念を掲げる。プラットフォーム事業と自社で創薬を進めるパイプライン事業によるハイブリッド型ビジネスモデルで事業を拡大し、最終的には研究開発・販売まで手掛けるスペシャリティファーマへの進化を目指している。2026年3月末の従業員数は21名で、うち研究開発人員は11名となっている。

### aibVISによる共同創薬研究で成長し、2024年に株式上場を達成

#### 2. 沿革

同社は2016年11月、代表取締役社長である中村慎吾（なかむらしんご）氏によって設立された。同氏は、武田薬品工業在職中の2004年に、当時としては先進的な着想による「mRNAを標的とする低分子創薬」を目指すプロジェクトを立ち上げ、2011年に退職する際に在職中の研究成果や機材を武田薬品工業より譲り受けた。その後、RNA構造を研究するための統計力学理論や熱力学理論、これらの理論を解析に応用するための計算ソフトウェアなど最新のテクノロジーを採り入れ、改めてmRNA標的低分子創薬を実現するための基礎技術を構築した。並行して医薬品ビジネスや医薬品製造、ベンチャービジネスに関する投資や経営、マーケティングの実務経験も積んだ。これら一連の経験を通じて、同氏はmRNA標的低分子創薬を広く製薬会社へ提供することが製薬業界に共通する課題への解決策になると確信し、同社の設立に至っている。

## 会社概要

設立後間もない2017年に三菱ガス化学などから出資を受け、核酸医薬品の研究を本格的に始動し、核酸医薬品研究の第一人者である、梨本正之(なしもとまさゆき)教授が所属する新潟薬科大学に研究拠点を設置した。一方、2010年代後半よりRNAを標的とする低分子創薬を目指す企業が米国において相次いで立ち上がったことを踏まえ、同社もmRNA標的的低分子医薬品の創薬事業を展開する方針を決定し、2018年より製薬会社と共同創薬研究を開始した。低分子医薬品の創薬研究に取り組むための研究拠点を、神奈川県川崎市のかわさき新産業創造センター・KBICに設置し、2019年にはmRNA標的的低分子創薬のプラットフォーム事業を本格化した。2020年にはRNAを標的とした低分子創薬のビジネスモデル特許を国内で取得し、2021年以降は大手化学・製薬会社との共同創薬研究契約を相次いで締結するなど、同事業を積極展開した。共同創薬研究から得られる収益により期間損益も2023年12月期に黒字化を達成したことで、同社はさらなる成長に向けた資金調達を目的として2024年2月に東証グロース市場に株式上場を果たした。

2025年6月には自社初のパイプラインとして心臓血管手術後に惹起される虚血性急性腎不全の発症を予防する核酸医薬品の開発を決定した。また、同年12月には核酸医薬品を治療対象臓器に選択的かつ正確に届けるDDS「Perfusio」の特許(日本)を取得するなど新たな技術の開発にも着手している。2026年2月末時点でmRNA標的的低分子医薬品の創出を目的とする共同創薬研究を進めているパートナーは、東レ、塩野義製薬、ラクオリア創薬、武田薬品工業の4社である。また、2025年6月に三菱ガス化学と核酸医薬品の創出及び製造方法確立を目的とする共同研究契約を締結し、2026年以降に決定する新たな社内パイプラインをこの共同研究内から創出することを意図している。さらに、2026年1月にはスイスのSpiroChem AGとmRNA標的化合物の共同探索研究に関する覚書を締結しており、欧州の企業との連携も広がりを見せている。

会社概要

沿革

年月	概要
2016年11月	東京都に(株) Veritas In Silicoを設立
2017年 5月	三菱ガス化学(株)及びベンチャーキャピタルの出資の下、RNA構造解析技術を生かしmRNAを標的とする核酸医薬品の創薬研究を主事業として開始
2017年 7月	研究拠点を共同研究先である新潟薬科大学内に開設
2018年 4月	主事業を核酸医薬品からmRNAを標的とする低分子医薬品の創薬プラットフォーム事業に転換 mRNA標的的低分子創薬研究のための研究拠点をかわさき新産業創造センター内に開設
2019年 3月	mRNAを標的とする低分子医薬品の創薬プラットフォーム事業に注力する方針を決定
2020年10月	RNAを標的とした低分子創薬のビジネスモデルに関する特許(日本)を取得
2021年 7月	東レ(株)とmRNAを創薬標的とする低分子医薬品の創出を目的とした共同創薬研究契約を締結
2021年11月	塩野義製薬(株)とmRNAを創薬標的とする低分子医薬品の創出を目的とした共同創薬研究契約を締結
2022年12月	ラクオリア創薬(株)とmRNAを創薬標的とする低分子医薬品の創出を目的とした共同創薬研究契約を締結
2023年 5月	フランスOncodesign ServicesとmRNAを創薬標的とした低分子医薬品開発を目指す製薬会社のニーズに応えることを目的とする事業協力を開始
2023年 6月	武田薬品工業とmRNAを創薬標的とする低分子医薬品の創出を目的とした共同創薬研究契約を締結
2024年 2月	東証グロース市場に上場
2024年12月	英国Liverpool ChiroChem Ltd.(2025年5月にLCC Technologiesに社名変更)とmRNA標的的低分子医薬品の共同開発及び商業化契約を締結
2025年 1月	RNAを標的とした低分子創薬の基盤技術に関する特許(欧州)を取得
2025年 6月	mRNA標的核酸医薬品 自社バイプラインの対象疾患を決定 三菱ガス化学と核酸医薬品の創出及び製造方法確立を目的とする共同研究契約を締結
2025年 7月	RNAを標的とした低分子創薬の基盤技術に関する特許(米国)を取得
2025年 9月	東京慈恵会医科大学と医薬品を効率的に標的臓器へ投与することにより、主作用の先進と副作用の低減を目的とした共同研究契約を締結
2025年11月	島根大学と肺移植後の機能不全を抑制する新たな医薬品の研究開発を目的とした共同研究を開始
2025年12月	核酸医薬品を治療対象臓器に選択的かつ正確に届けるDDS「Perfusio」の特許(日本)を取得 心臓血管手術後の虚血性急性腎不全を適応疾患とした核酸医薬品の物質特許を出願(日本)
2026年 1月	AI創薬プラットフォームibVIS®に実装されるAIを改良、機能強化のうえaibVISへバージョンアップ
2026年 1月	スイスSpiroChemとmRNA標的化合物の共同探索研究に関する覚書を締結
2026年 4月	新川崎研究所を移転、研究設備を拡充のうえ川崎研究所と改称

出所：有価証券報告書、同社プレスリリースよりフィスコ作成

## 事業概要

### プラットフォーム事業とパイプライン事業を展開

#### 1. 事業内容

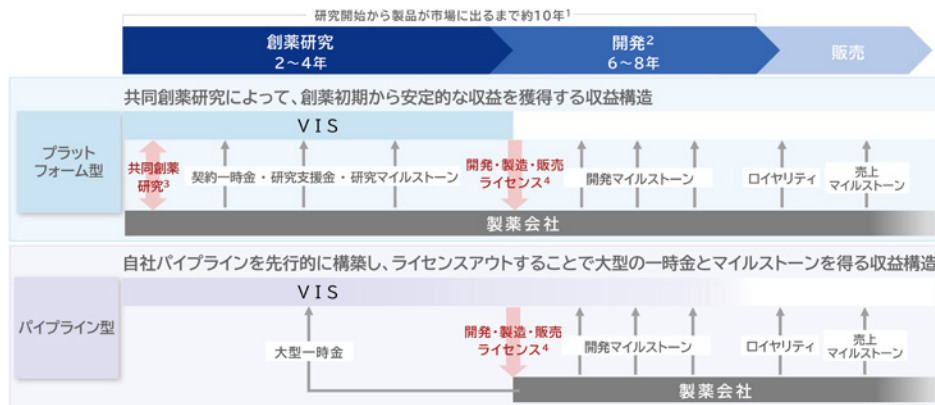
同社は独自のAI創薬プラットフォーム「aibVIS」の高い汎用性と拡張性を生かし、これまで主軸として展開してきたプラットフォーム事業に加えて、2025年から始まる中期計画の中で、ハイブリッド型ビジネスに転換した。

事業概要

プラットフォーム事業では、共同創薬研究契約を締結することで、契約一時金のほか研究支援金、研究の進展によって得られる研究マイルストーンなど創薬初期段階から安定的な収益を期待できる。また、開発ステージに移行後は開発の進展によって得られる開発マイルストーン、上市後は販売高に係るロイヤリティ収入や累計売上高により設定された売上マイルストーンを得るビジネスモデルである。開発ステージに移行するには開発・製造・販売ライセンス契約も締結することになるが、これらの条件も含めて基本的に共同創薬研究契約の締結時に盛り込まれている。現在、4社との共同創薬研究契約に基づく既存プロジェクトが全て成功した場合には、契約一時金・研究支援金・研究マイルストーンで最大総額約19.4億円（取得済み総額9.21億円）、開発マイルストーンで最大総額約80.5億円、売上マイルストーンで最大総額約1,050億円を得られることになっている。ただし、創薬開発の成功確率は低く、現実的にすべてのプロジェクトが成功するわけではない点には留意が必要だ。

一方、パイプライン事業では、他社との創薬では実績のある「aibVIS」を用いて自社で創薬を進める事業となり、研究・開発のいずれかの段階で製薬会社にライセンスアウトし、契約一時金と開発マイルストーン、上市に成功した場合はロイヤリティ収入や売上マイルストーンを得るビジネスモデルである。

ビジネスモデル



注：グレーの矢印が収益発生ポイント

※1 上市までの期間については、実際の研究開発状況により大きく異なる可能性がある。

※2 現時点（2025年12月末現在）、製薬会社による開発・販売ステップにまで進んだ実績はない。

※3 aibVISを使用した当社と製薬会社の協業は、創薬研究期間中に限られる。

※4 開発・製造・販売ライセンスに関する取り決めについては、基本的に共同創薬研究契約の締結時に盛り込まれる。

出所：決算説明資料より掲載

事業概要

## AI創薬プラットフォーム「aibVIS」により効率的な創薬研究を実現

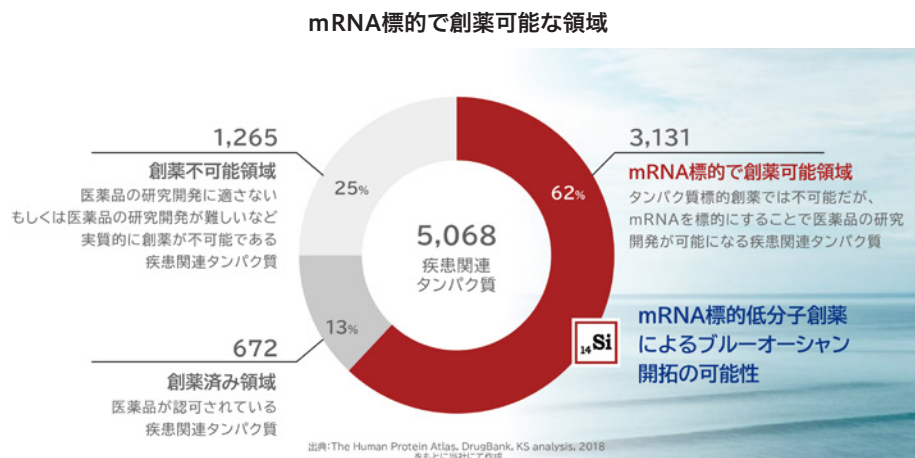
### 2. プラットフォーム事業

同社は、独自のAI創薬プラットフォーム「aibVIS」を活用し、契約相手先の製薬会社と共同でmRNA標的低分子医薬品の創出を目的とする創薬研究を実施している。「aibVIS」は、AI創薬技術を活用してmRNA上の創薬標的となる部分構造を探るRNA構造解析の技術などと、標的構造に結合する化合物を探索するスクリーニング法をはじめとする生物学的な実験技術を集約したプラットフォームである。同社が持つRNAに特化した構造解析技術により、創薬においてmRNAを標的とできる。さらに、mRNA標的構造と低分子化合物の相互作用をスーパーコンピュータで徹底的に解析することで、mRNA標的に対して高い活性と選択性を持つ低分子化合物を合理的に設計支援することが可能である。こうした「aibVIS」を活用することで、従来できなかったmRNAに対する創薬を具体的に実施し、医薬品候補化合物の取得が可能になる。

なお、「aibVIS」が提供するmRNA標的低分子医薬品の技術は、従来のタンパク質を標的とする創薬では治療薬の開発が困難とされていた疾患を含め、幅広い疾患に適用できる可能性があるという点が画期的である。同社によれば、疾患に関連するタンパク質は5,068種類あり、このうち約6割を占めるのが、タンパク質標的創薬では不可能だがmRNAを標的にすることで医薬品の開発の可能性があると考えられるタンパク質である。現在、医薬品として認可されている疾患関連タンパク質の4.7倍の種類にのぼり、mRNA標的低分子創薬の研究開発に関する潜在的なポテンシャルの大きさが窺える。

「aibVIS」では様々な疾患に適用可能ではあるが、特に低分子医薬品の開発が望まれているがん領域や中枢神経疾患でのニーズが高い。がん領域は従来のタンパク質標的創薬では治療できないがんが多いためだ。数多くのがん患者のために、抗体医薬品などと比べて製造コストが相対的に低い低分子化合物の創薬が望まれている。また、中枢神経疾患についても抗体医薬品等では血液脳関門 (BBB) ※でブロックされてしまうため、BBBを通過する低分子医薬品の開発が強く望まれている領域である。

※ 血液脳関門 (Blood brain barrier) : 血液と脳の組織液との間の物質交換を制限する機構。

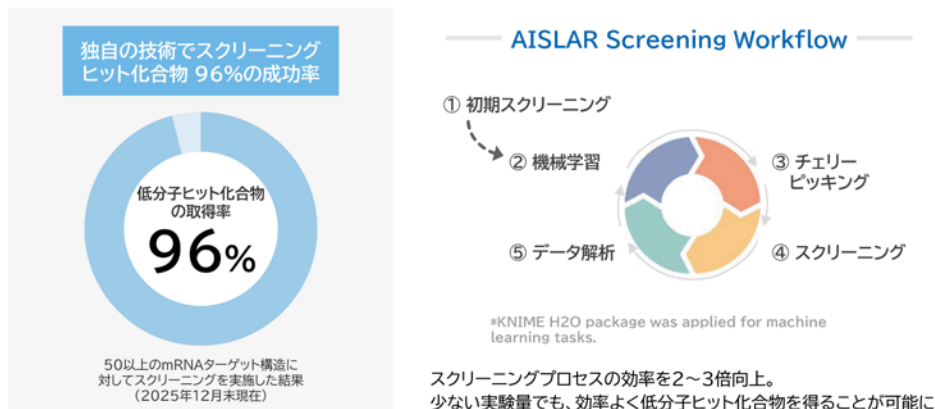


出所: 事業計画及び成長可能性に関する説明資料より掲載

事業概要

製薬会社との共同創薬研究においては、同社が主にスクリーニングと細胞実験、化合物合成以外のプロセスを担当する。製薬会社は同社が技術供与したスクリーニング法を用いてスクリーニングを実施し、細胞実験による効果測定（スクリーニング結果の検証）、化合物の合成展開、薬物動態及び安全性研究、化合物の効果を検証する動物実験などを担当する。同社では、これまでに実施した複数の共同創薬研究に基づくRNA構造解析データをはじめ、一連のスクリーニングや実証実験の実績、さらに社内研究によるリード化合物最適化での実効性証明などの高度な研究データを数多く蓄積している。これらを学習データとして「aibVIS」に組み込むことで、候補化合物の特定に至るプロセスの効率化を実現している。このスクリーニング手法は、日欧に続いて米国でも2025年7月に特許が成立しており、創薬の基礎研究段階における他社との差別化要因である。

「aibVIS」によるスクリーニング手法



注：ヒット化合物とはリード化合物となり得る候補化合物を指す  
 出所：事業計画及び成長可能性に関する説明資料より掲載

なお、mRNA標的的低分子医薬品の開発を進めている企業は、国内では同社及びその提携先くらいだが、海外では米国に少なくとも3社※存在する。いずれの企業もまだ未上場で、また各社が扱う化合物群もまだ臨床開発ステージまでには到達していないものの、大手製薬会社とライセンス契約を締結しており、今後の開発動向には注目しておきたい。上市実績ができれば、mRNA標的的低分子医薬品に対する注目度が一気に高まるためだ。

※ Arrakis Therapeutics、Ribometrix、Anima Biotechの3社。

## 核酸医薬によるパイプライン事業を2025年よりスタート

### 3. パイプライン事業

同社は「aibVIS」を活用して、独自でパイプラインを創出し、製薬会社に導出することで収益を獲得するパイプライン事業を開始している。同事業に参入した背景には、当初よりパイプライン事業をプラットフォーム事業を合わせ行うハイブリッドビジネスを目指していたことに加え、大手製薬会社における創薬研究のトレンドが変化してきたことが挙げられる。大手製薬会社では自社で基礎研究段階から行うよりも、バイオテック企業等から有望なパイプラインを導入し、臨床開発を進めるケースが増えている。こうしたトレンドの変化は、プラットフォーム事業における契約交渉にも影響が出始めていると当社では感じているようだ。研究開発コストは嵩むものの、中長期的に収益獲得が期待できるパイプライン事業を育成することが、将来の企業価値向上につながると判断している。

同社は開発対象として、高い将来価値が期待できるもの（既存薬と競合せず、患者数が一定以上規模の疾患）、販売開始までの研究開発期間が相対的に短く、かつ開発コストを低く抑えることができるもの（指定難病等の希少疾患）などを選定基準として、年間1本のペースで合計3本のパイプラインを創出し、研究開発を進める。

また、同社は三菱ガス化学と核酸医薬品の創出及び製造方法確立を目的とする共同研究契約（予定研究期間3年）を2025年6月に締結した。Quality by Design (QbD) に基づく長鎖RNA※1標的に対するアンチセンスオリゴヌクレオチド (ASO※2) の創薬に取り組むことを目的としたものだ。同社の創薬プラットフォーム「aibVIS」を活用して開発候補ASO化合物を取得し、三菱ガス化学は初期より同化合物の製造方法の確立を担う。QbDの考え方を研究初期段階から採り入れることで、高活性・低毒性であるだけでなく商業製造の際に高品質かつ低コスト化を実現する付加価値の高い医薬品の開発を目指している。なお、共同研究により得られた成果物は、主に当社が権利を保有し、三菱ガス化学は一部を保有することになっている。

※1 長鎖RNA：おおそ長さ300塩基以上のRNA分子のことで、タンパク質の合成やそのほかの細胞機能に重要な役割を果たす。mRNA、プレmRNA、ロングノンコーディングRNAなどの種類がある。

※2 ASO：Antisense oligonucleotideの略。アンチセンスオリゴヌクレオチド（アンチセンス核酸）。核酸医薬品の一つ。一本鎖のDNAやRNAからなり、相補的な配列をもつmRNAに結合して主にタンパク質の合成（翻訳）を制御する働きを持つ。ASOに安定性や機能などを追加することを目的として様々な化学修飾を導入することができる。

事業概要

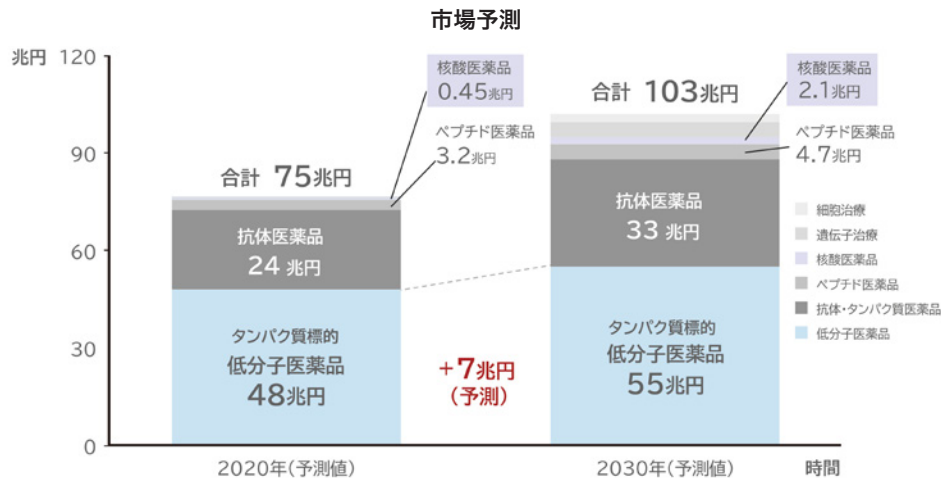
## 低分子医薬品市場は今後も安定成長、核酸医薬品は高成長見通し

### 4. 医薬品市場の見通し

医薬品の世界市場規模は2020年の75兆円から2030年は103兆円まで拡大するとの予測※がなされている。このうち、モダリティ別で最大規模となる低分子医薬品については2020年の約48兆円から2030年は約55兆円と年率1%の緩やかな成長で成熟期に入っているものの、2030年時点でも全体の5割強を占める最大市場としてのポジションに変わりはない。ただ、同予測値には上市実績のないmRNA標的の低分子医薬品については加味されていない。既述のとおり、タンパク質標的では創薬できない疾患関連のタンパク質が多く残されているなかで、mRNA標的の低分子医薬品で同領域を埋めることができれば、低分子医薬品の市場規模もさらに拡大する可能性が十分にある。

※ 内閣官房 健康・医療戦略室委託事業「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」による。

一方、同社がパイプライン事業で取り組む核酸医薬品の市場規模は2020年の約0.45兆円から2030年は約2.1兆円と年率17%の成長が見込まれている。アンメットメディカルニーズの強い希少疾患を対象とした開発が多く、高薬価も期待できるため研究開発が活発に行われており、医薬品市場のなかでは遺伝子治療と並ぶ高成長市場として位置付けられている。製薬会社の関心も高く、開発が順調に進めば早期導出の可能性も高まると予想される。



注：内閣官房 健康・医療戦略室委託事業「令和二年度 医薬品・再生医療・細胞治療・遺伝子治療関連の産業化に向けた課題及び課題解決に必要な取組みに関する調査報告書」をもとに同社が作成  
 出所：事業計画及び成長可能性に関する説明資料より掲載

## aibVISを基盤としたワンストップソリューションが強み

### 5. 同社の強み

同社の強みとして、mRNA標的低分子創薬という新しい創薬手法において、共同創薬研究の各過程で必要となる一連のAI創薬技術をワンストップで提供可能とした独自の創薬プラットフォーム「aibVIS」を構築している点が挙げられる。これまでの研究実績やノウハウの積み上げにより、技術的にどのようなmRNAにも応用可能なほか、蓄積した多くのデータをAIエンジンに学習させることで、特定の創薬課題ごとに効率的な研究開発が可能となる。これまでに共同創薬研究契約を締結した製薬会社のうち、塩野義製薬においては2025年にリード化合物候補の創出に成功するなど研究成果も出始めている。

「aibVIS」はmRNA標的低分子医薬品に限らず、核酸医薬品の開発にも適用できるため、自社パイプラインを構築する際の技術的な裏付けとなる点も強みの1つと言える。同社が独自設計したECM (Extraordinary Curated Modulation) 型核酸医薬品は、特殊な化学修飾を用いずとも、高い活性と薬効が期待できる設計原理に基づくシンプルな2本鎖構造となっている。特に安全性を意識した新たな設計コンセプトで、従来の核酸医薬品の課題の1つである毒性の解決にもつながる可能性があり注目される。また、三菱ガス化学との共同研究によって、高品質かつ低コストの核酸医薬品の開発に成功すれば、核酸医薬品の課題のもう1つである製造においてもその解決が期待できることになり、同社の技術力も一段と注目されることになる。

#### ECM型核酸医薬品と従来品の比較

	既存の核酸医薬品	ECM型核酸医薬品
設計	既存のモダリティに基づく	同社独自の設計コンセプト
特徴	活性はターゲット依存	シンプルで強い作用設計
課題	二本鎖補強等で複雑	課題点を回避した設計
ねらい	既存のターゲット制御	高活性と低リスク両立

出所：事業計画及び成長可能性に関する説明資料よりフィスコ作成

## ■ 事業別の動向

### 2025年5月に塩野義製薬とのプロジェクトでマイルストーン達成

#### 1. プラットフォーム事業

##### (1) 2025年12月期の進捗状況

2025年12月期は各社との共同創薬研究が順調に進捗し、なかでも塩野義製薬とのプロジェクトにおいてマイルストーンを達成した点は大きな成果と言える(マイルストーン収入10百万円を計上)。同プロジェクトは2021年11月に契約を締結した。感染症及び精神・神経系疾患に関連する複数の遺伝子を創薬対象として、対応するmRNA上の標的構造の同定から、標的構造に作用し動物モデルで薬効を示す医薬品候補化合物の取得を目的とした研究である。今回のマイルストーン達成は、タンパク質標的では成し得なかった特異的な作用を示すリード化合物候補の取得に成功したもので、研究プロジェクトのなかで初めて達成した意義は大きい。今後は取得したリード化合物候補を医薬品候補化合物に最適化するフェーズに進む。医薬品候補化合物を取得できれば、動物実験による非臨床試験を経て臨床試験に進むことになる。

そのほか、創薬プラットフォーム「aibVIS」の中核技術となるターゲット探索とスクリーニング手法の特許が7月に米国で成立し、これで日欧米の主要地域で知的財産権を確保したことになる。ただ、2025年に見込んでいた共同創薬研究契約が1件不成立となり、業績計画の下方修正要因となった点はネガティブとなった。製薬会社の創薬基礎研究に対する取り組みが変化してきたことが一因と見られる。

##### (2) 2026年12月期の取り組み方針

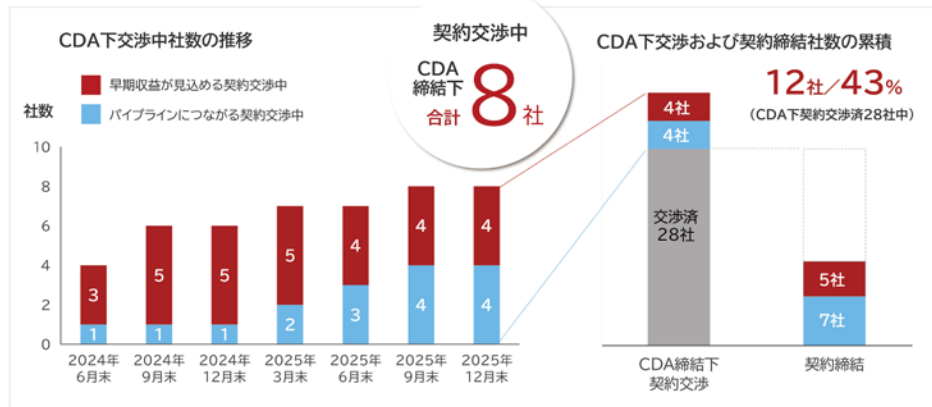
2026年12月期の取り組み方針として、基礎研究分野の潮流を理解しつつチャンスを広げる取り組みを進める。まずは、既存の共同創薬研究を着実に進捗させ、mRNA標的低分子創薬の成功事例を作る。また、創薬意欲が旺盛な国内外のバイオテック企業と契約を締結し、将来価値の高くなるプロジェクト推進することに加え、大手製薬会社とは引き続き契約交渉を行い、早期収益を得られるプロジェクトの実現を目指す。2025年12月末時点で秘密保持契約(CDA)を結んで交渉中の企業数は8社(うち、欧州企業3社)であり、このなかから2件の新規契約締結を目指している。

2025年12月にはSpiroChem AG(スイス)とmRNA標的化合物の共同探索研究実施に合意した。同研究は、SpiroChemが持つ世界的水準のマクロサイクル、ペプチドなどの化合物に対する深い知見と、同社の「aibVIS」や細胞実験技術を融合させることで、世界最高峰レベルのmRNA標的低分子医薬品の創出を目的とする。研究成果については、将来的に共同で第三者にライセンスアウトすることで収益獲得を目指す。

なお、創薬プラットフォーム「aibVIS」について、農薬分野への応用も視野に入れた事業を開発する。国内外の複数の大手農薬専門メーカーから新規農薬の開発に同プラットフォームを活用したいとの引き合いがあるため、秘密保持契約を締結して交渉を進めている。

事業別の動向

事業開発の状況



出所：決算説明資料より掲載

## 心臓血管手術後に惹起される虚血性急性腎不全の予防を対象とした核酸医薬品の開発に着手

### 2. パイプライン事業

#### (1) 2025年12月期の進捗状況

同社は、心臓血管手術後に惹起される虚血性急性腎不全の予防を対象とした核酸医薬品を1本目の社内パイプラインとして決定し、2025年12月に国内で特許出願した。心臓血管手術では一時的に血流を止めるため、虚血により臓器が損傷するリスクがある。特に虚血の影響を受けやすい腎臓は急性腎不全を惹き起こしやすい。現在有効な予防法はなく、開発に成功すれば患者の術前・術後のQOL向上に大きく貢献することになる。

対象遺伝子となるp53の発現が腎臓細胞の予期しないアポトーシス<sup>※1</sup>に関与していることから、p53を抑制することで腎不全を予防できることが知られている。同業他社が開発中のsiRNA医薬品<sup>※2</sup>の候補物質で実施された第2相臨床試験では、p53の抑制による腎不全の予防に優れた効果が確認されている。同社が開発した候補品は同業他社の候補物質より安価かつ低毒性を期待できるだけでなく、それを上回る活性を持つ(p53の抑制力が強い)ことから、さらに有効な治療が期待できるものと思われる。同社では2026年より動物実験を開始し、早ければ2028年の臨床試験入りを目指している。なお、動物実験では新たに開発したDDS「Perfusio」を用いることで、さらに薬効が高く副作用の少ない治療法の開発を進め、上市時には「Perfusio」の利用も併せた新規治療法として保険収載をねらっている。

※1 アポトーシス：生物が個体を健全に保つために、古くなった細胞や不要な細胞が計画的に自滅する仕組みのこと。細胞自身が小さく縮み、断片化して他の細胞に不用物として回収されるように処理するシステムで、炎症を起こさず、体を正常に保つための必須の働き。

※2 siRNA 医薬品：特定のmRNAに結合して分解を促進し、病気の原因となるタンパク質が体内で生成されないようにして疾患の発生を抑える「核酸医薬品」の一種。

#### 事業別の動向

ピーク時売上高は年間約150億円を想定している。国内における心臓血管手術が年間約5万件あり、このうち発症リスクの高い65歳以上の高齢者が35% (17,500件) を占める。当社ではまずは65歳以上の患者を対象に開発を進める。このうち実際の使用率を85% (14,900件)、薬価100万円を前提とすれば売上高は約150億円となる。開発に成功すれば、海外への展開や高齢患者以外への適用、その他の虚血性疾患に対する適応拡大などを進める予定で、売上規模はさらに拡大することになる。

そのほか、パイプライン事業では、同年11月には島根大学と肺移植後の機能不全を抑制する新たな医薬品の研究開発を目的とした共同研究を開始しており、新たなパイプラインの候補となる可能性がある。そのほか、2026年1月に東京慈恵会医科大学と共同研究を進めていた筋萎縮性側索硬化症 (以下、ALS) 向け治療薬となる核酸医薬品の物質特許が公開された。ALS治療薬の開発については難易度が高く、研究開発費も嵩むことから当社単独で進める計画はなく、関心を示す製薬会社があればライセンスアウトする方針だ。

#### (2) 2026年12月期の目標と「Perfusio」の事業化について

2026年の目標として、2本目の社内パイプライン創出に取り組むほか、核酸医薬品についての各種課題を抜本的に解決できる可能性のあるDDS「Perfusio」の事業化に向けた取り組みを積極的に推進する。

「Perfusio」は既に認可済みのカテーテルと閉塞用バルーンカテーテルを組み合わせた構造となっている。仕組みとしては対象臓器につながる動脈と静脈に特殊なバルーンカテーテルを入れた後、バルーンを膨らませて血管を一時的に閉じ体血流より対象臓器を独立させ、その状態で対象臓器へ動脈側から薬を含む液体を流し、対象臓器に集中的に届ける。そして、静脈側から使い終わった薬を回収する。これにより、対象臓器に確実に必要量の薬剤を届けることが可能となる。また、静脈注射の場合は全身に薬剤が回るため副作用リスクが増大するが、「Perfusio」は対象臓器のみに必要量分だけ投与し回収するため、副作用リスクが大幅に軽減できることもメリットとなる。過去に副作用が発生し開発を断念した化合物も「Perfusio」を使うことで、開発を再開できる可能性も出てくる。

当社では社内パイプラインでの利用だけでなく、製薬会社へのライセンスアウトによる収益化も目指している。まずはカテーテルメーカーとパートナー体制を構築し、全身のどの臓器でも利用できるような汎用の医療機器として、製造販売体制を整備する考えだ。また、「Perfusio」の認知度を高めるために、共同研究先である東京慈恵会医科大学で研究成果の外部発表も積極的に進める。「Perfusioを用いて、(全身投与で認可されている) 既存の医薬品を使う」ことは医師の裁量の範囲で可能であるが、臨床現場で自由に使用可能とし、医療機関からはライセンス料を取らない方針としている。

自社での利用については社内パイプラインに「Perfusio」をはじめから利用する前提で開発する。他社が医薬品開発で「Perfusio」の利用を希望する場合には、臨床試験時等にライセンスアウトする。対象疾患としては副作用の強い治療薬の多い固形がんなどが想定される。

## 業績動向

### 2025年12月期業績は2期連続の減収、損失計上に

#### 1. 2025年12月期の業績動向

2025年12月期の業績は、事業収益が91百万円（前期比103百万円減）、営業損失が396百万円（同183百万円増）、経常損失が390百万円（同157百万円増）、当期純損失が425百万円（同189百万円増）となり、2期連続の減収、損失計上となった。

#### 2025年12月期業績

(単位：百万円)

	24/12期	25/12期		前期比	計画比
	実績	期初計画	実績		
事業収益	194	788	91	-103	-696
契約一時金	-	489	-	-	-489
マイルストーン収入	90	61	10	-80	-51
研究支援金等	104	237	81	-23	-156
研究開発費	172	331	215	43	-115
販管費	235	293	272	37	-20
営業利益	-212	163	-396	-183	-559
経常利益	-233	170	-390	-157	-560
当期純利益	-236	168	-425	-189	-593

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業収益は、マイルストーン収入が10百万円（前期比80百万円減）、共同創薬研究などの研究支援金等が81百万円（同23百万円減）とそれぞれ減少した。また、期初計画では共同創薬研究の契約一時金で489百万円を見込んでいたが、当見込み案件が流れたことにより収益計上がなかったことも響いた。

事業費用のうち、研究開発費は自社パイプラインの創出にともなう増加や研究員の増員などにより215百万円（同43百万円増）と増加したが、共同創薬研究で獲得を見込んでいた新規案件が流れたことを主因として、計画比では115百万円下振れた。販管費は人件費を中心に272百万円（前期比37百万円増）となったが、採用関連費用等の一部費目の支出が少額に抑えられたことで、計画比では20百万円の下振れとなった。また、営業外収支は前期に計上した上場関連費用や株式交付費等の営業外費用22百万円がなくなり若干改善した一方で、特別損失として減損損失31百万円を計上した。

なお、期末の従業員数は前期末比横ばいの19名（研究開発部門11名）となったが、社員の入れ替えが進んでいる。一方、同社では複数の製薬会社との実証的な共同研究を密度濃く行っていることから、研究者をはじめとして個々のスキルは確実にレベルアップしている。このため、採用については即戦力候補の中堅社員を主軸としつつ、新卒も含めた若手人材の確保も進め、社内でも育成する方針に転換している。

## 2026年12月期業績は保守的に策定、 研究開発費の増加で損失が続く見込み

### 2. 2026年12月期の業績見通し

2026年12月期の業績は、事業収益が113百万円(前期比21百万円増)、営業損失が569百万円(同172百万円増)、経常損失が564百万円(同173百万円増)、当期純損失が567百万円(同141百万円増)と損失が続く見通しとなっている。前期の業績が期初計画を下回った反省を踏まえて、事業収益については共同創薬研究に関する契約一時金を織り込んでいない保守的な計画となっている。目標としては新規に2件の契約締結を目指している。従来のように大手製薬会社だけではなく、バイオテック企業や農薬メーカーなどに対象が広がっていることもあり、契約締結の可能性は十分にあると弊社では見ている。

#### 2026年12月期業績見通し

(単位：百万円)

	25/12期 実績	26/12期 会社計画	前期比
事業収益	91	113	21
マイルストーン収入	10	40	30
研究支援金等	81	73	-8
研究開発費	215	380	164
販管費	272	301	28
営業利益	-396	-569	-172
経常利益	-390	-564	-173
当期純利益	-425	-567	-141

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業収益の内訳については、マイルストーン収入で40百万円(同30百万円増)、研究支援金等で73百万円(同8百万円減)を見込んでいる。マイルストーン収入は共同創薬研究の既存プロジェクトにおいて研究が進捗することを想定している。研究支援金等については、新規契約が決まれば上乗せ要因となるが、計画では既存プロジェクトで見込まれている収益のみを織り込んでおり、蓋然性の高い数値となっている。

事業費用のうち、研究開発費は2本目の自社パイプラインの創出のための研究開発投資に加えて、研究所の移転及び設備増強に伴う設備投資など先行投資的な出費が発生することにより、380百万円(同164百万円増)を見込んでいる。販管費については301百万円(同28百万円増)と人件費を中心に増加する見込みだ。なお、研究所の移転については、2026年3月に新川崎研究所の賃貸契約が期限を迎えたのを機に、同じ川崎市内の別の拠点に移転と研究設備の増強をおこない、4月より川崎研究所と改称のうえ、研究活動をスタートした。移転に伴って研究所面積を事務室スペースはおおよそ1.5倍、実験室はおおよそ4倍に拡張するとともに最新の研究設備・機材を導入し、これまで以上に先進的な研究が可能となるほか、交通の利便性向上等を含めた職場環境並びにワークライフバランスの改善が進み、研究体制の強化につながるものと期待される。

人員の採用については、2026年春に新卒の研究者の採用が決まっており、研究開発部門の体制を強化するほか、経営基盤の強化を図るため管理部門の増員も予定している。

業績動向

なお、2026年4月13日付で武田薬品工業とのmRNA標的的低分子医薬品共同創薬研究に関する契約の終了を発表した。同社業績に与える影響は限定的なため、期初に発表した業績計画の修正は行っていない。今回の契約終了の理由は、特定の研究テーマにおける研究の進め方などについて、同社の方針や考え方が相手先に受け入れられなかったことによるもので、同社の技術基盤や研究遂行能力、事業継続性そのものに影響を及ぼすものではない。今後は本研究を通じて得られた知見についてどのように活用できるかを、相手先と協議・検討していくことにしている。

## 資本政策の柔軟性・機動性を確保するため減資を実施

### 3. 財務状況

2025年12月期末の資産合計は前期末比364百万円減少の1,884百万円となった。流動資産では、現金及び預金が348百万円減少した。固定資産では減損損失の計上及び減価償却により有形固定資産が14百万円減少した一方で、差入保証金が17百万円増加した。

負債合計は前期末比61百万円増加の101百万円となった。主に流動負債の前受金が55百万円増加したことによる。純資産合計は同425百万円減少の1,783百万円となった。当期純損失の計上により利益剰余金が425百万円減少した。また、資本政策の柔軟性・機動性を確保するため2025年5月に減資を実施したことにより、資本金が67百万円減少し、同額を資本剰余金に振り替えた。

経営指標を見ると、経営の安全性を占める自己資本比率は前期末の98.2%から94.6%に低下したものの、引き続き高水準を維持している。損失計上が続く見通しだが、現金及び預金が18億円強の水準となっていることから、喫緊の資金調達の実用性は低いと思われる。ただ、2027年12月期以降も損失が続くようであれば、財務戦略の1つとして検討課題になることが予想される。

#### 貸借対照表

(単位：百万円)

	22/12期	23/12期	24/12期	25/12期	増減額
流動資産	1,547	1,629	2,232	1,865	-366
(現金及び預金)	1,484	1,549	2,173	1,825	-348
(売掛金)	35	59	21	8	-12
固定資産	51	26	16	19	2
資産合計	1,598	1,655	2,248	1,884	-364
負債合計	55	79	39	101	61
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	1,542	1,575	2,209	1,783	-425
(安全性)					
自己資本比率	96.5%	95.2%	98.2%	94.6%	-3.6pp
有利子負債比率	0%	0%	0%	0%	0%

出所：決算短信よりフィスコ作成

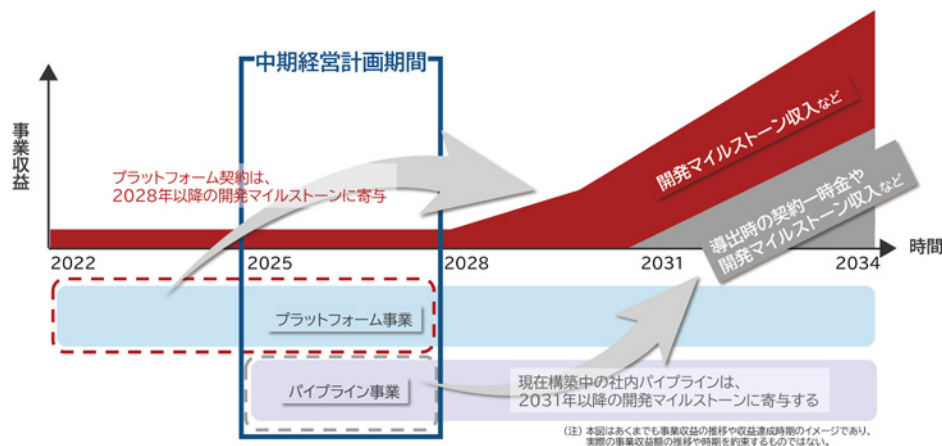
## ■ 中長期の成長戦略

### ハイブリッド型ビジネスで事業を拡大、2028年以降に成長軌道に

同社は2025年12月期からスタートした3か年の中期経営計画において、スペシャリティファーマを目指すために、プラットフォーム事業と自社創薬によるパイプライン事業を両軸としたハイブリッド型ビジネスについて、創業当時より掲げていた方針に沿って取り組みを進めている。プラットフォーム事業では、新規契約を年間2件ずつ締結することを目標に掲げている。足元は創薬研究の潮流が変化しつつあるなかで、大手製薬会社との契約交渉を継続しつつ、創薬開発のニーズが強いバイオテック企業との共同創薬研究を進めることで、将来の収益をシェアする取り組みが増えるものと予想される。既存プロジェクトが進捗すること、また新規プロジェクトが追加されることで、マイルストーン収入は2028年以降に段階的に増えるものと予想される。

一方、パイプライン事業では2027年までに年1本ペースでパイプラインを創出する。臨床試験に進むのは早くても2028年以降となる。このため、研究開発費の規模はさほど大きなものにはならないと考えられる。契約一時金やマイルストーン収入として収益に寄与する時期としては臨床試験のデータがある程度蓄積される2031年以降になると見ているが、非臨床試験段階でライセンス契約を締結する可能性もゼロではない。特に、「Perfusio」という新たなDDSを活用した治療法の開発となるため、動物実験によって良好なデータ（薬効や安全性等）が得られるようであれば、注目度も高まるものと予想される。なお、パイプラインの4本目以降については、その時の外部環境や財務状況なども勘案して戦略を立てる方針だ。将来的には研究開発・販売機能も備えたスペシャリティファーマへ進化することを目指しており、今後の研究開発の動向が注目される。

中長期成長イメージ



出所：決算説明資料よりフィスコ作成

#### 重要事項 (ディスクレマー)

株式会社フィスコ(以下「フィスコ」という)は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受け、企業から報酬を受け取って作成されています。本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかなを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは強く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

#### ■お問い合わせ■

〒107-0062東京都港区南青山5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443 (IRコンサルティング事業本部)

メールアドレス：support@fisco.co.jp