米国Q Therapeutics Inc.および共同創設者Mahendra Rao博士とのiPS細胞医薬品の共同研究について

説明資料

2017年11月29日

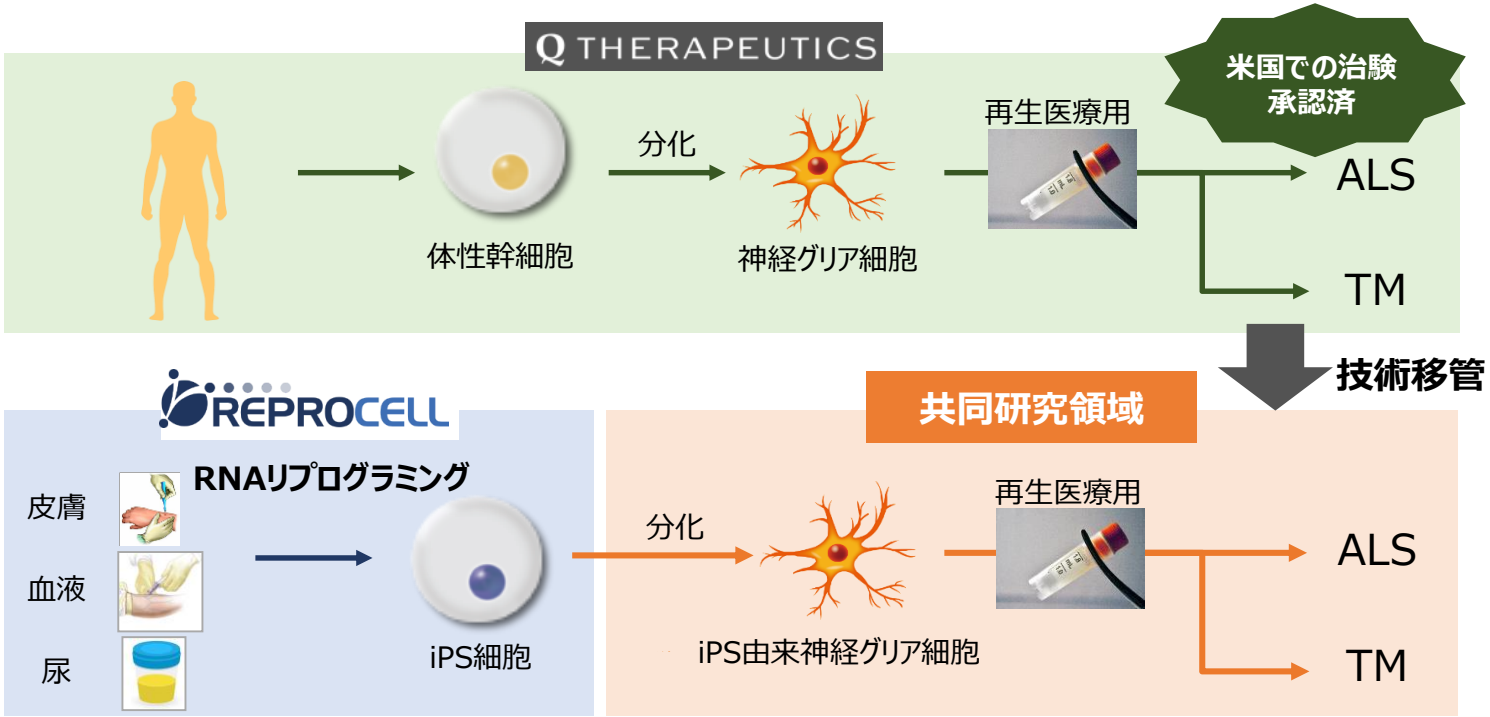
共同研究の概要

当社は米国Q Therapeutics Inc.（キューセラピューティクス、以下、Qセラ社）および共同創設者Mahendra Rao博士とiPS細胞医薬品の共同研究について基本合意しました。

Qセラ社は、体性幹細胞から神経グリア細胞（GRP）を製造する独自の技術を保有しています。体性幹細胞から製造された細胞製品Q-Cell®は、米国FDAより筋萎縮性側索硬化症（ALS）および横断性髄膜炎（TM）を対象疾患とした治験の承認を取得しています。

一方で、当社は、独自のiPS細胞作製技術であるRNAリプログラミング技術を保有しています。本技術では遺伝子変異リスクを最小化し、外来遺伝子やウイルス残存リスクのない、高品質で臨床応用に適したiPS細胞を作製することが可能です。

両社の技術を組み合わせることで、iPS細胞由来GRPを再生医療用途で迅速に開発してまいります。



© REPROCELL Inc., 2017

RNAリプログラミング技術の優位点

従来法と比較して、RNAリプログラミング技術は臨床用iPS細胞に適している技術です

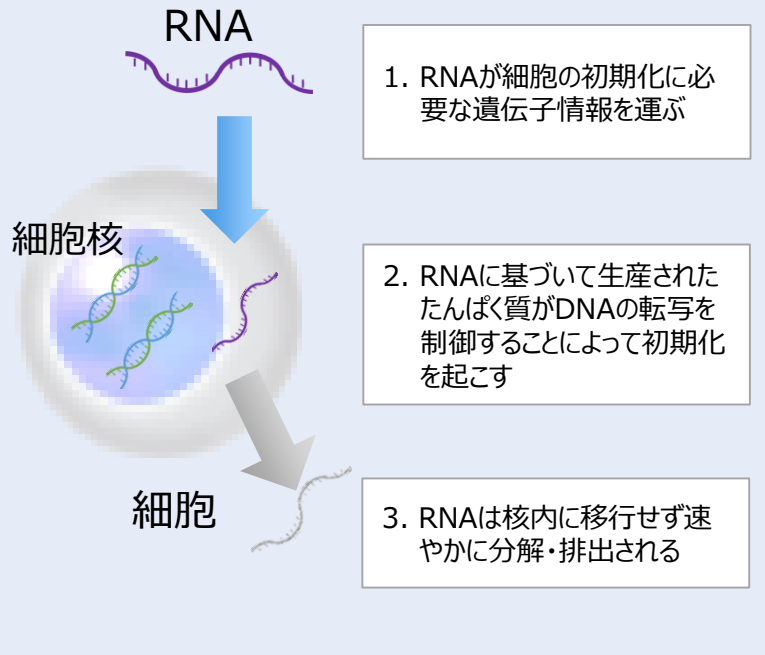
(1)多能性幹細胞に求められる安全性等（造腫瘍）に関する審査のポイント

基準	RNA-iPS細胞
①染色体異常がない	従来法に比べて染色体異常が少ない
②腫瘍関連遺伝子の異常構造がない	従来法に比べて遺伝子への影響が小さい
③外来遺伝子の有意な残存がない	RNAは速やかに分解・排出されるため残存しない

(2)再生医療の産業化に求められる品質

基準	RNA-iPS細胞
①iPS細胞の品質安定性	ばらつきの少ない高品質なiPS細胞が効率よく作成可能
②目的の細胞への分化効率	様々な種類の細胞へ効率よく分化可能

RNAリプログラミング法



© REPROCELL Inc., 2017

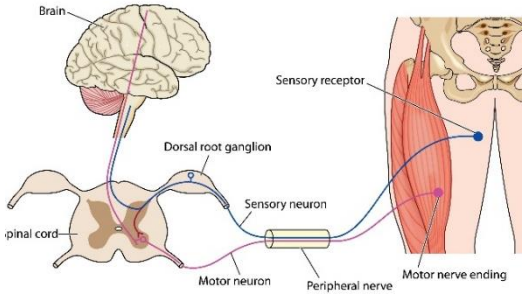
対象疾患について

筋萎縮性側索硬化症(ALS)

体を動かすための神経系（運動神経）が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感は正常であり、知能の低下もありません。

病状の進行が極めて速い一方で、有効な治療法は確立されていません。

日本では指定難病とされています。



【症状】
・ろれつが回らない
・嚥下障害
・歩行障害
・呼吸障害　　など

患者数

米国
約3万人

日本
約1万人

出所：難病情報センターWebサイト、
田辺三菱製薬プレスリリースを参考に当社作成

横断性髄膜炎(TM)

脊髄の一部分が横方向にわたって炎症を起こすことによって発生する神経障害です。

通常、腰部の痛みや筋肉衰弱やつま先や脚の異常な感覚などの症状が突然発症することで始まり、その後急速に、麻痺や閉尿や排便制御の喪失などの深刻な症状がみられます。

一部の患者は障害を残さずに完治しますが、中には日常生活に支障をきたすほどの障害が残ってしまう患者もいます。

原因は特定されておらず、効果的な治療法は確立されていません。



患者数

米国
約4.4万人

出所：クリストファー・アンド・デイナ・リーブ財団麻痺障害リソース・センターWebサイト、
Q therapeutics社webサイトを参考に当社作成

© REPROCELL Inc., 2017

Q Therapeutics社について

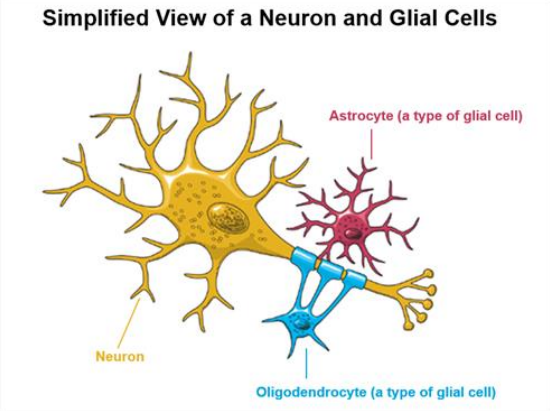
Q Therapeutics Inc.（米国ユタ州、ソルトレイクシティ）は中枢神経系疾患および損傷を治療するための幹細胞製品の開発を行っている企業です。

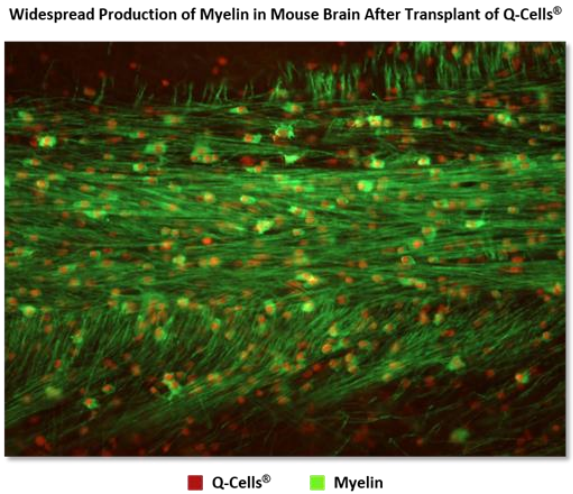
同社の最初の幹細胞製品であるQ-Cell®は、体内で神経グリア細胞に分化し、疾患によってダメージを受けた中枢神経の機能を回復または維持することが期待されます。

Q-Cell®は、多発性硬化症（MS）、横断性脊髄炎（TM）、脳性麻痺、脳卒中、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、ハンチントン病、脊髄損傷、外傷性脳損傷およびアルツハイマー病といった、広範囲の中枢神経障害を治療する目的に適しています。

現在、米国FDAによってTMおよびALSを対象とした早期臨床試験の実施にかかる承認が得られています。

Q THERAPEUTICS



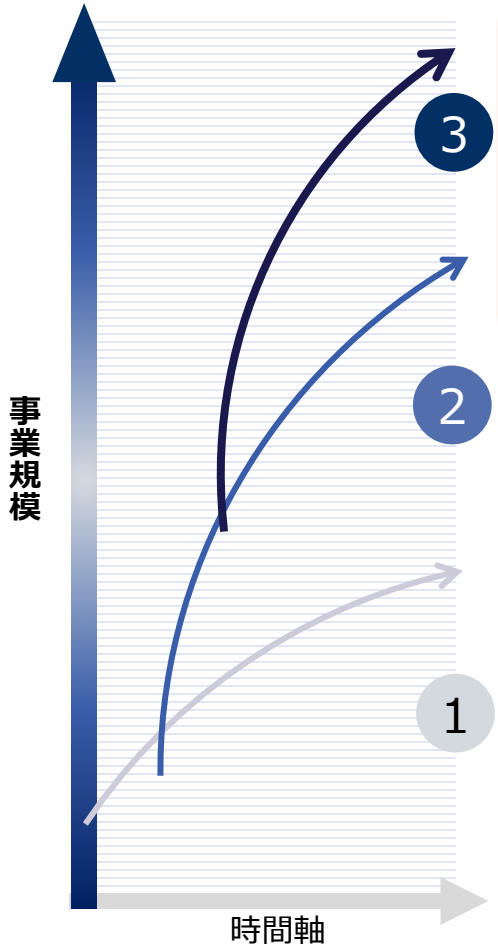


© REPROCELL Inc., 2017

当社事業戦略における本共同研究の位置付け

Q Therapeutics Inc.との共同研究開始により、iPS細胞を活用した細胞医薬品やiPS細胞バンクへの展開を加速してまいります。

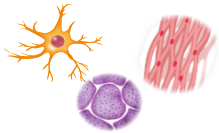
■ 再生医療進出のロードマップ



■ 戦略的位置づけ

iPS細胞を活用した細胞医薬品やiPS細胞バンクへの展開

次世代RNAリプログラミング技術によるアライアンスを進め、再生医療の基盤技術を提供するリーディングカンパニーへ


体性幹細胞を活用した細胞医薬品への展開

ステミネント社との協業を通じて細胞医薬品の開発ノウハウを蓄積し、再生医療企業としての地位を獲得

STEMINENT BIOTHERAPEUTICS

再生医療向け培地・試薬製品への展開

臨床に適した製品群で当社技術のユーザー基盤を拡大





2050年世界市場規模予測

約38兆円

約3兆円

© REPROCELL Inc., 2017