

2020年7月期 第2四半期決算説明会補足資料

# 株式会社 ステムリム

代表取締役社長 岡島 正恒



(東証マザーズ：4599)

難病に苦しむ 世界中の患者さんに

笑顔の未来 を届けたい。



本資料は、本資料の日付現在において有効な経済、規制、市場及びその他の条件に基づいており、当社又は当社の代表者のいずれも、本資料の情報が正確又は完全であることを保証するものではありません。今後の動向が本資料に含まれる情報に影響を与える可能性があります。当社又は当社の代表者のいずれも、本資料に含まれる情報を更新、改訂又は確認する義務を負いません。本資料に含まれる情報は、事前に通知することなく変更されることがあり、当該情報の変更が重大なものとなる可能性もあります。

また、本資料に記載されている将来予想に関する記述は、当社が現在入手可能な情報を勘案した上での、当社の現時点における仮定及び判断に基づくものであり、既知及び未知のリスク、不確実性その他の要因を含んでいます。当該リスク、不確実性その他の要因により、当社の実際の業績又は財務状態が、将来予想に関する記述により表示又は示唆されている将来の業績又は財務状態から大きく乖離する可能性があります。

当社以外の会社又は当事者に関連する情報又はそれらにより作成された情報は、一般的に入手可能な情報及び本資料で引用されているその他の情報に基づいており、当社は、当該情報の正確性及び適切性を独自に検証しておらず、また、当該情報に関して何らの保証もするものではありません。

本資料は、当社の関連情報の開示のみを目的として作成したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の有価証券への投資判断は、ご自身の判断で行うよう、お願いいたします。また、本資料に基づいて被ったいかなる損害についても、当社及び情報提供者は一切責任を負いかねます。

なお、本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、公開又は利用することはできません。

1. コーポレートミッション及び再生誘導医薬のコンセプト
2. 2020年7月期上半期における事業活動の概況
3. 2020年7月期上半期決算報告および通期業績予想
4. 会社概要およびマネジメント
5. 再生誘導医薬開発の経緯
6. 再生誘導医薬の優位性
7. 事業領域およびパイプラインの概要
8. PJ1-02 HMGB1に関する脳梗塞を対象とした第Ⅱ相臨床試験について
9. 今後の成長戦略
10. 「再生誘導医学協働研究所」の開設について

---

# 1 コーポレートミッションおよび再生誘導医薬<sup>®</sup>のコンセプト

---

## 再生誘導<sup>®</sup>で難治性疾患を克服する



株式会社ステムリムは、「再生誘導医薬<sup>®</sup>」の開発を目指すバイオ企業です。

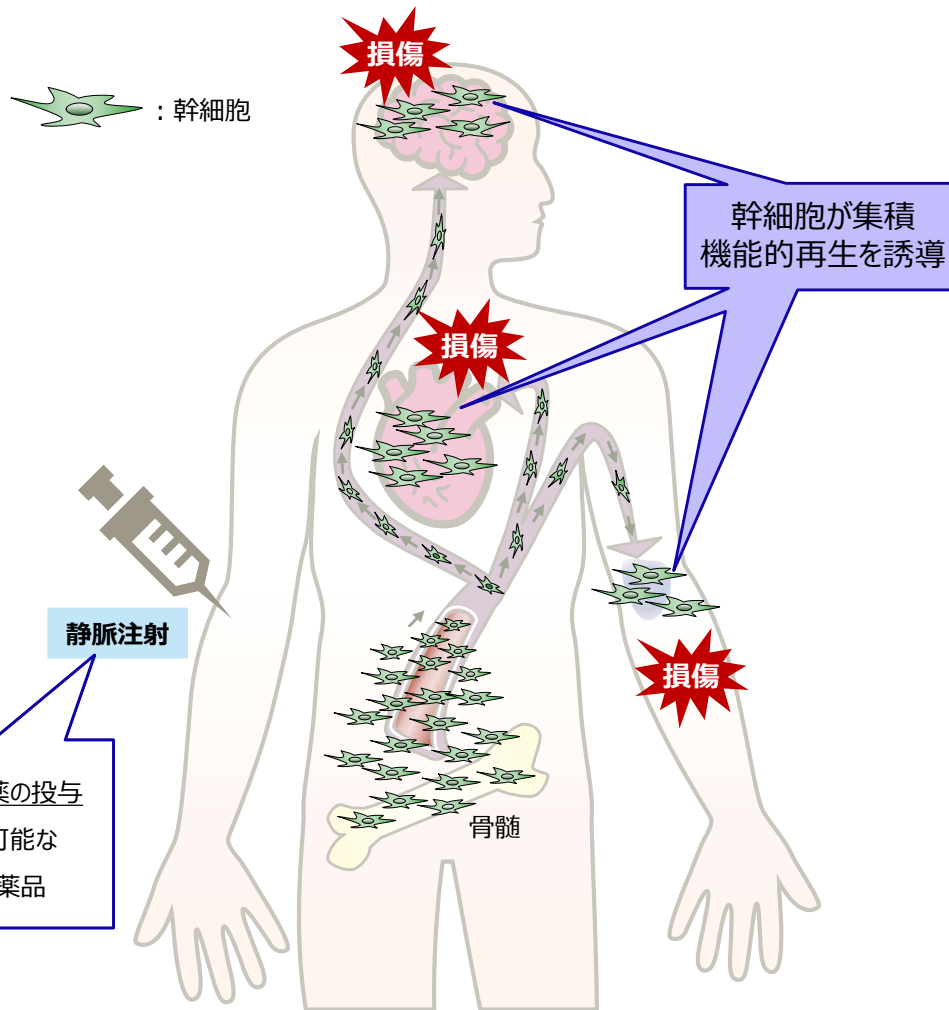
「再生誘導医薬<sup>®</sup>」とは、人が本来持つ組織修復能力を最大限に引き出すことにより、機能的な組織・臓器の再生を誘導する新しい医薬品です。

当社は、生体内に存在する幹細胞を、体外に取り出すことなく、怪我や病気で損傷した組織に局所動員し、機能的組織再生を誘導する新しい作用機序に基づく医薬品の開発を進めています。

社名の由来は **Stem cell Regeneration-Inducing Medicine** (= 再生誘導医薬<sup>®</sup>) より

\* 2020年2月末付にて「再生誘導医薬」、「再生誘導」、「再生誘導医学」、「再生誘導医療」の4商標が商標登録されております。

## 血中に動員された生体内間葉系幹細胞が損傷組織に集積し機能的再生を誘導



様々な臓器・組織の障害

再生誘導医薬の投与

骨髄から幹細胞を  
血中に動員

幹細胞が損傷組織に集積

機能的再生を誘導

---

## 2 2020年7月期 上半期における事業活動の概況

---

年月	事業活動
2019年8月	東証マザーズに新規株式上場
11月	<b>HMGB1ペプチドに関する脳梗塞を対象とした第Ⅱ相試験において、第一例目への被験者への投与を開始</b>
11月	欧州におけるHMGB1ペプチドの物質特許の査定が発行
2020年1月	<b>HMGB1ペプチドに関する栄養障害型表皮水疱症を対象とした第Ⅱ相試験のデータ解析結果速報を公表。また2020国際表皮水疱症会議にて同データ解析結果速報を公表</b>
2月	米国におけるHMGB1ペプチドの物質特許が登録
4月以降	大阪大学テクノアライアンス棟（1,540㎡）に再生誘導医学協働研究所設立予定



## 第49回 欧州研究皮膚科学会（2019.09.21）

演題： Single cell transcriptome and epigenome analyses in a murine model of dystrophic epidermolysis bullosa

演者： 新保敬史（大阪大学大学院 医学系研究科 再生誘導医学寄付講座 准教授）

## 第44回 日本研究皮膚科学会（2019.11.09）

演題： Single cell RNA- and ATAC-seq analyses in a murine model of dystrophic epidermolysis bullosa

演者： 新保敬史（大阪大学大学院 医学系研究科 再生誘導医学寄付講座 准教授）

## 第9回 DDS再生医療研究会（2019.12.22）

演題： 再生誘導医薬HMGB1ペプチドの開発

演者： 玉井克人（大阪大学大学院 医学系研究科 再生誘導医学寄付講座 教授）

## 第41回 水疱症研究会（2020.01.10）

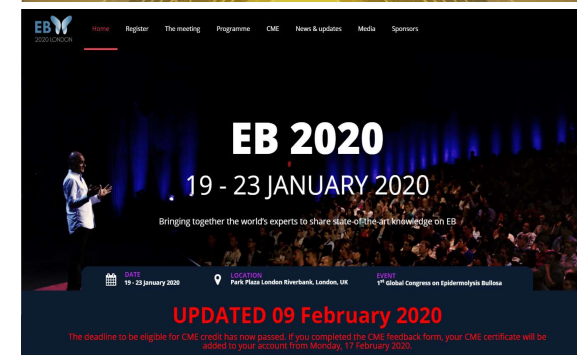
演題： 表皮水疱症に対する根治的治療法開発の現状と展望

演者： 玉井克人（大阪大学大学院 医学系研究科 再生誘導医学寄付講座 教授）

## 第1回 国際表皮水疱症会議 EB2020（2020.01.21）

演題： HMGB1 peptide / CELL MANIPULATION & THERAPIES

演者： 玉井克人（大阪大学大学院 医学系研究科 再生誘導医学寄付講座 教授）

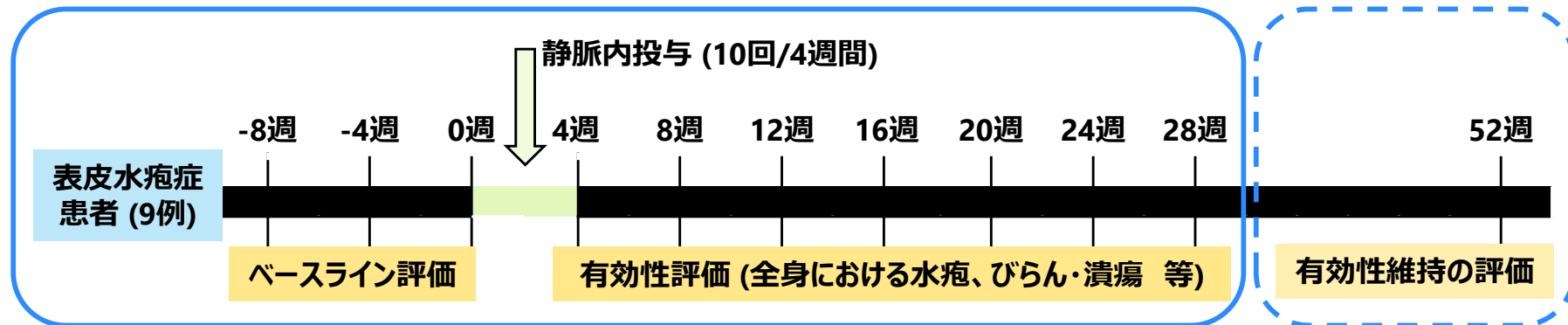


## 表皮水疱症患者対象・医師主導治験概要

<b>試験名称 (UMIN試験 ID: UMIN000029962)</b>	栄養障害型表皮水疱症患者を対象とした骨髄間葉系幹細胞動員医薬KOI2の臨床試験*
<b>対象</b>	栄養障害型表皮水疱症患者、9名 (投薬例)
<b>実施大学</b>	大阪大学, 東邦大学, 慶應大学
<b>主要評価項目</b>	全身における水疱、びらん・潰瘍の合計面積のベースラインからの変化率
<b>用法用量</b>	1mg/kg, 30分間静脈内点滴投与、10回/4週間 [投与1週目：4日間、投与2-4週目：2日間/週 (3-4日に1回)]

### 医師主導治験 (完了、速報)

### 追跡調査 (実施中)

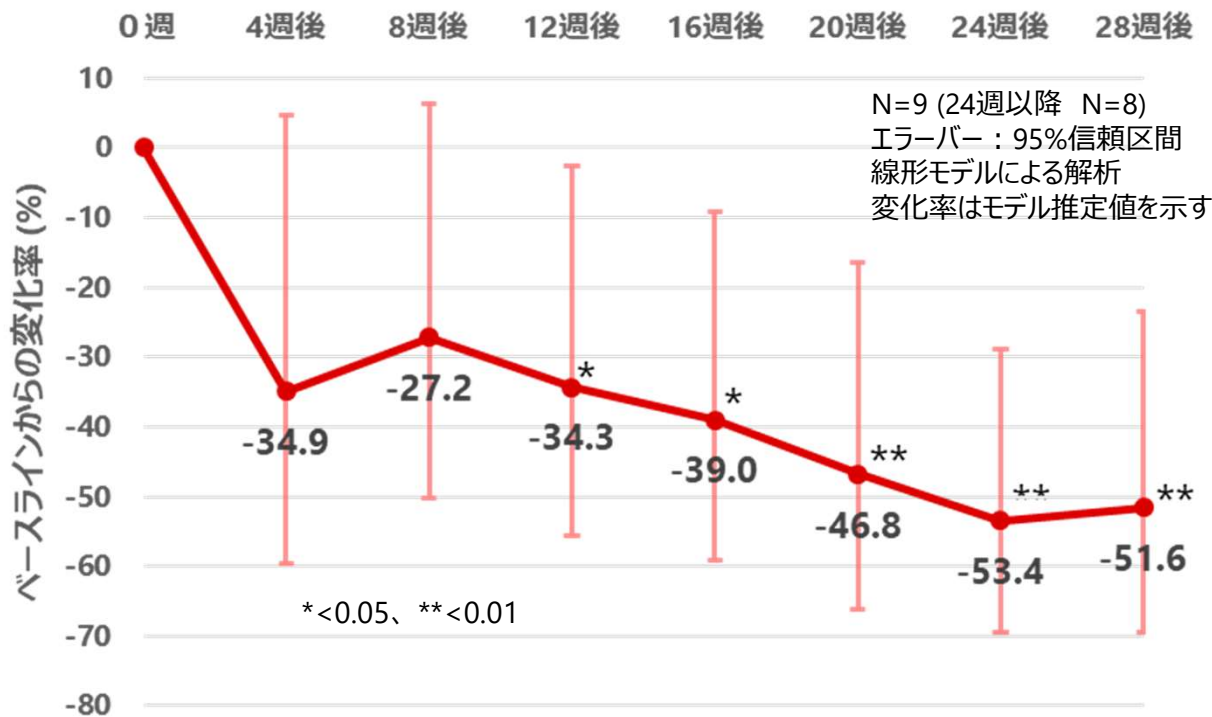


## 本剤の表皮水疱症患者に対する有効性を確認 (速報、次ページ)

\*本臨床試験はAMEDの橋渡し研究戦略的推進プログラム (AMED課題番号 JP19Im0203018、研究開発代表者：玉井 克人、拠点：大阪大学) の支援を受けた

## 全9例の解析

## 全身における水疱、びらん・潰瘍合計面積の変化率 (%) の推移



**統計学的有意な改善**  
(投与12週目以降)

投与部位に薬効が限定される従来の再生医療と異なり、  
 本剤の組織再生誘導は全身の病変に対する薬効を発揮



## Jouni Uitto教授

(米国ジェファーソン医科大学皮膚科学講座主任教授)  
国際表皮水疱症会議の主催者で、表皮水疱症治療の世界的な最高権威

(栄養障害型表皮水疱症におけるHMGB1ペプチドの第Ⅱ相臨床試験の結果について)  
「統計学的有意差をもって全身皮膚の症状が改善したことは、有効な治療法が無い表皮水疱症患者にとって臨床的に高い意義がある。

また現在世界中で開発が試みられている表皮水疱症治療の多くが局所療法であり、ペプチド医薬の静脈内投与で骨髄由来間葉系幹細胞を血液中に増やし、

**全身の皮膚病変のみならず内臓病変に対しても治療効果が期待できる表皮水疱症治療薬の開発は他に類が無く、表皮水疱症の治療薬として大変期待できる。」**

骨髓間葉系幹細胞動員医薬HMGB1ペプチドにおける栄養障害型表皮水疱症患者を対象とした第Ⅱ相医師主導治験にて**治療効果の長期持続性が確認**された

生体内に存在する幹細胞を、体外に取り出すことなく、怪我や病気で損傷した組織に局所動員し、機能的組織再生を誘導する**「再生誘導医薬®」のコンセプトの証明**

## 適応症の拡大

「急性脳梗塞、肝硬変、変形性膝関節症、心筋症」を皮切りにあらゆる機能的組織再生を必要とする疾患領域に拡大

## 3 2020年7月期上半期決算報告および通期業績予想

---

## 損益計算書の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2019年7月期 (前期実績)	2020年7月期 上半期実績	前期通期 比較	備 考
事業収益	100	—	—	
研究開発費	640	354	55.3%	
事業費用	826	465	56.3%	
営業利益	▲726	▲465	64.0%	
営業外収益	9	13		
営業外費用	5	64		IPO時の費用64百万円
当期利益	▲721	▲518	71.8%	
役 職 員 数	44名	48名	4名増	研究員の増員

\* 人数は、役員＋従業員の期中平均在職者数

## 貸借対照表の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2019年7月期末 (前期末実績)	2020年1月末	差 異	備 考
現金及び預金	2,496	9,827	7,330	IPOに伴う公募増資による現金増
流動資産	2,669	9,951	7,282	
固定資産	18	21	2	
資産合計	2,687	9,972	7,284	現預金の増加
流動負債	75	93	17	預り金の増加+38 未払法人税の減少-17
固定負債	16	14	△1	
負債合計	91	108	16	
純資産合計	2,595	9,863	7,268	IPOに伴う公募増資による株主資本増
負債純資産合計	2,687	9,972	7,284	



## 損益計算書の概要 当期実績対比

(単位：百万円)

	2019年7月期	2020年7月期 (通期予想)	差 異	(%)	備 考
事業収益	100	400	300	—	開発進捗にともなう マイルストーン収入
研究開発費	640	1,136	496	77%	新規PJへの研究開発投資 人員増／研究施設拡張費用
事業費用	826	1,490	664	80%	研究開発費の増加 人員増／管理体制整備
営業利益	▲726	▲1,090	▲364	△50%	
当期利益	▲721	▲1,137	▲416	△57%	

※2019年9月12日開催の2019年7月期決算説明会にて公表させていただきました内容から変更ありません。

## 4 会社概要およびマネジメント

---

社名	株式会社ステムリム (StemRIM Inc.)
代表者	富田 憲介 (代表取締役) 岡島 正恒 (代表取締役)
本社住所	大阪府茨木市彩都あさぎ 7丁目7-15 彩都バイオインキュベータ 3階
設立年月	2006年(平成18年)10月30日
事業内容	再生誘導医薬の研究開発事業
従業員数	39名(2020年2月末時点)

**研究開発人員**

**研究職34名**

Ph.D	14名
その他	20名

\*Ph.D14名には医師、獣医師含む  
\*社内の有資格者としては弁理士、薬剤師を擁する  
\*取締役含む  
\*2020年2月末時点

年月	沿革
2006年10月	大阪大学大学院医学系研究科の玉井克人教授らが同定した骨髄多能性幹細胞動員因子を医薬品として開発することを目的に会社設立
2007年4月	大阪大学との共同研究を開始。以後、研究成果の知財化を進め、これまでに86件の特許を取得。(そのほか72件の特許を出願中)
2008年10月	独立行政法人 科学技術振興機構(J S T) 産学共同シーズイノベーション事業に採択
2009年12月	独立行政法人 科学技術振興機構(J S T) A-STEP本格研究開発ハイリスク挑戦タイプに採択
2010年4月	本社を彩都バイオインキュベータに移転。彩都ラボ開設 <b>塩野義製薬(株)と骨髄由来幹細胞動員因子に関する共同研究契約締結</b>
2011年11月	独立行政法人 科学技術振興機構(J S T) A-STEP本格研究開発シーズ育成タイプに採択
2013年12月	独立行政法人 科学技術振興機構(J S T) A-STEP本格研究開発シーズ育成タイプに採択。大阪大学の早期探索的臨床試験拠点整備事業と連携し、医師主導治験を支援。
2014年4月	大阪大学最先端医療イノベーションセンターの共同研究プロジェクトに採択(テーマは「体内再生誘導医薬開発のための非臨床試験及び新規候補物質の探索」) 阪大ラボ開設
2014年5月	独立行政法人 新エネルギー・産業技術総合開発機構(N E D O) 2013年度イノベーション実用化ベンチャー支援事業に採択
2014年11月	<b>塩野義製薬(株)とHMGB 1に関するライセンス契約締結</b>
2015年8月	国立大学法人大阪大学にてHMGB 1に関する医師主導治験開始
2017年3月	<b>HMGB 1に関する表皮水疱症を対象とした医師主導治験(フェーズ I) 終了</b>
2017年8月	中小企業庁助成事業「戦略的基盤技術高度化支援事業」に採択
2018年1月	<b>HMGB 1に関する表皮水疱症を対象とした医師主導治験(フェーズ II) 開始</b>
2018年7月	株式会社ステムリム (StemRIM) に社名変更
2019年4月	<b>HMGB 1に関する脳梗塞を対象とした企業治験(フェーズ II) 開始(塩野義製薬)</b>
2019年8月	<b>東京証券取引所上場 (マザーズ)</b>
2020年1月	<b>HMGB 1に関する表皮水疱症を対象とした医師主導治験(フェーズ II) データ解析結果の速報を通知</b>
2020年4月	<b>大阪大学・テクノアライアンス棟に再生誘導医学協働研究所 (床面積 1,540㎡) を開設予定</b>



## 代表取締役 会長CEO 富田 憲介

三共(現第一三共)  
日本イーライ・リリー  
ローヌ・ブーランク・ローラー(現サノフィ)  
サンド薬品(現ノバルティスファーマ)  
アンジェス エムジー(現アンジェス)代表取締役社長  
オンコセラピー・サイエンス代表取締役社長



## 代表取締役 社長COO 岡島 正恒

住友銀行(現三井住友銀行)  
住友キャピタル証券  
大和証券エスピーキャピタル・マーケット  
大和証券SMBC  
メディシノバ東京事務所代表副社長



## 取締役副社長 探索研究部長 山崎 尊彦

弘前大学医学部生化学第2講座助手  
大阪大学大学院医学系研究科遺伝  
子治療学産学官連携研究員



## 取締役 経営管理部長 星野 智之

平山公認会計士事務所  
オンコセラピー・サイエンス  
OFFICE6代表取締役(現任)



## 取締役 社長室長 金崎 努

日本アジア投資  
JAIC Asia Holdings Pte. Ltd.  
ヴァイスプレジデント



## 取締役 医薬研究部長 横田 耕一

鐘紡  
日本オルガン  
カルナバイオサイエンス



## 社外取締役 梅田 和宏

第一メディカル(現メディカルホール)  
日本アジア投資  
JAIC America Inc  
エムスリーアイ代表取締役社長  
(現任)



## 社外取締役 澤井 典子

CSKベンチャーキャピタル  
株式会社ディー・エヌ・エー

## 監査役 久渡 庸二

米国ユニロイヤル  
日本イーライリリー  
塩野義製薬海外事業推進部部長

## 監査役 水上 亮比呂

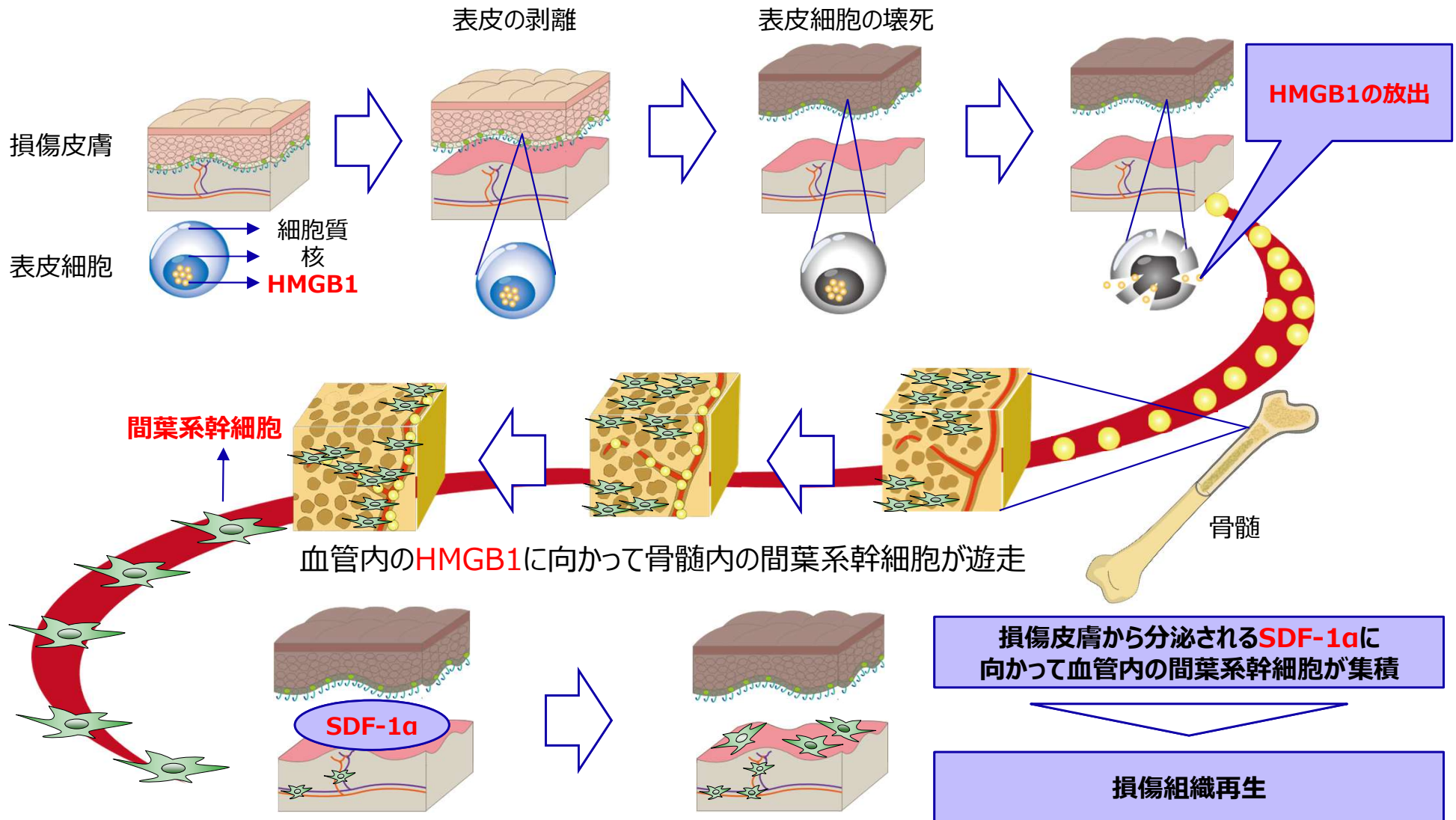
監査法人サンワ東京丸の内事務所(現トーマツ)  
水上亮比呂公認会計士事務所代表(現任)

## 監査役 島田 洋一郎

住友銀行(現三井住友銀行)  
住友キャピタル証券  
大和証券SMBC  
青山財産ネットワークス

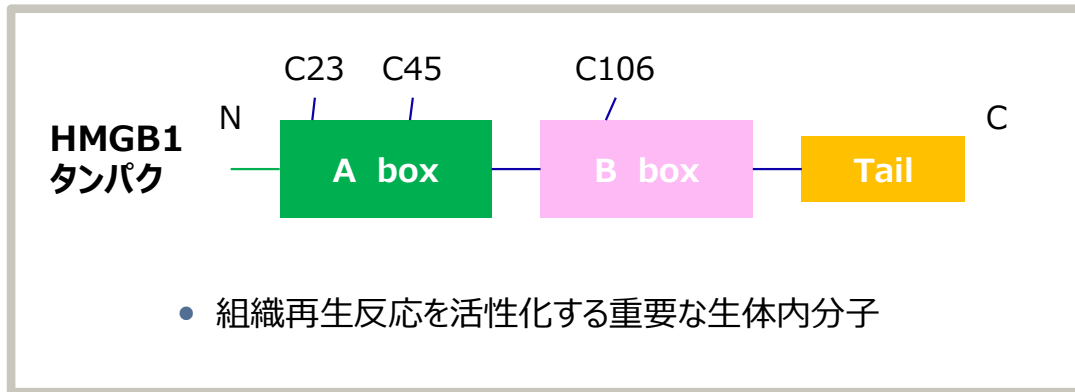
## 5 再生誘導医薬開発の経緯

## 壊死組織由来因子を介した損傷皮膚と骨髄内間葉系幹細胞のクロストークメカニズムを発見



参考文献:  
J Immunol. 2015 Feb 15;194(4):1996-2003  
Proc Natl Acad Sci U S A. 2011 Apr 19;108(16):6609-14.

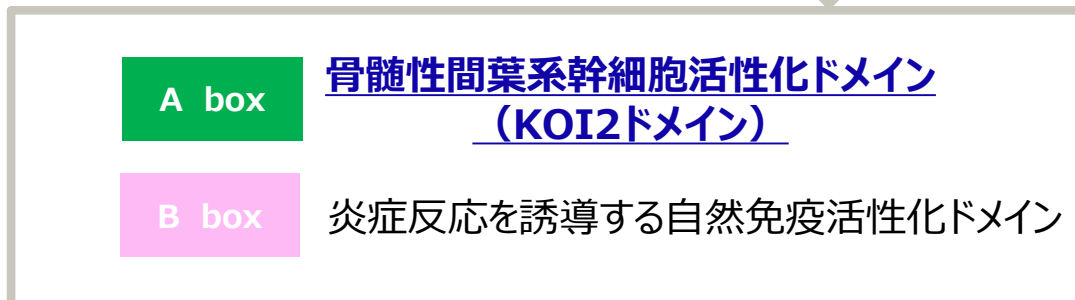
## HMGB1タンパクのA-Boxドメインを化学合成して安全性の高いペプチド医薬を創製



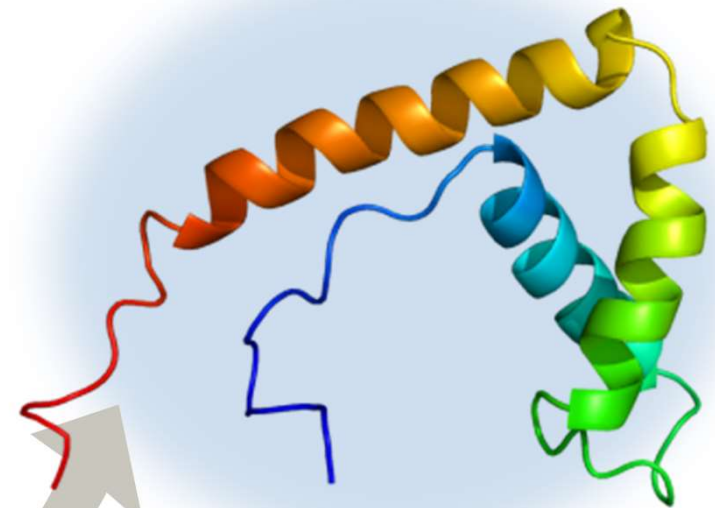
大阪大学 玉井克人教授



タンパク内ドメインの機能を特定



HMGB1タンパク-KOI2ドメインから得られたHMGB1ペプチド



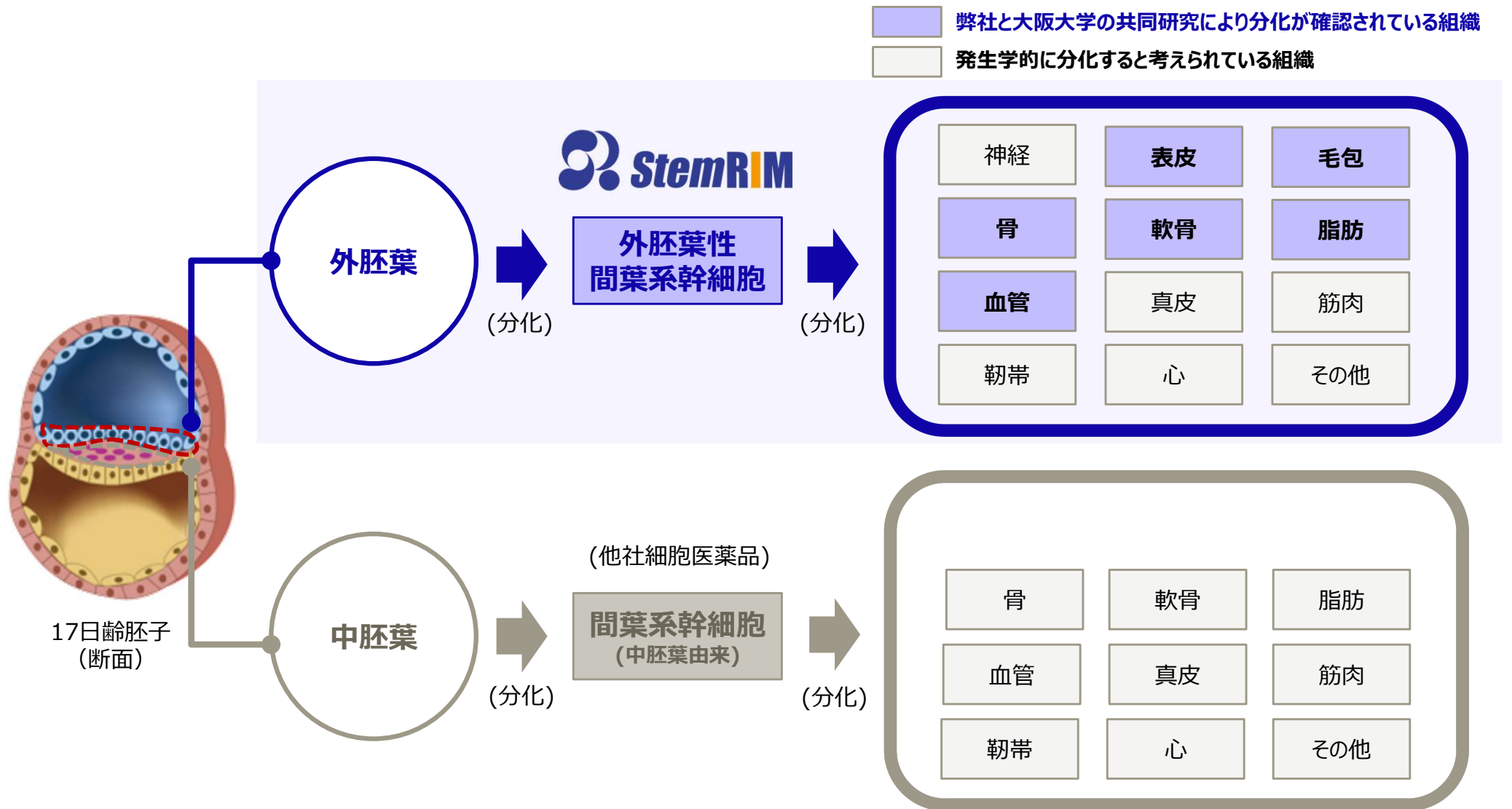
・HMGB1タンパクの副作用要因を排除したHMGB1ペプチド医薬品

## 6 再生誘導医薬の優位性

---

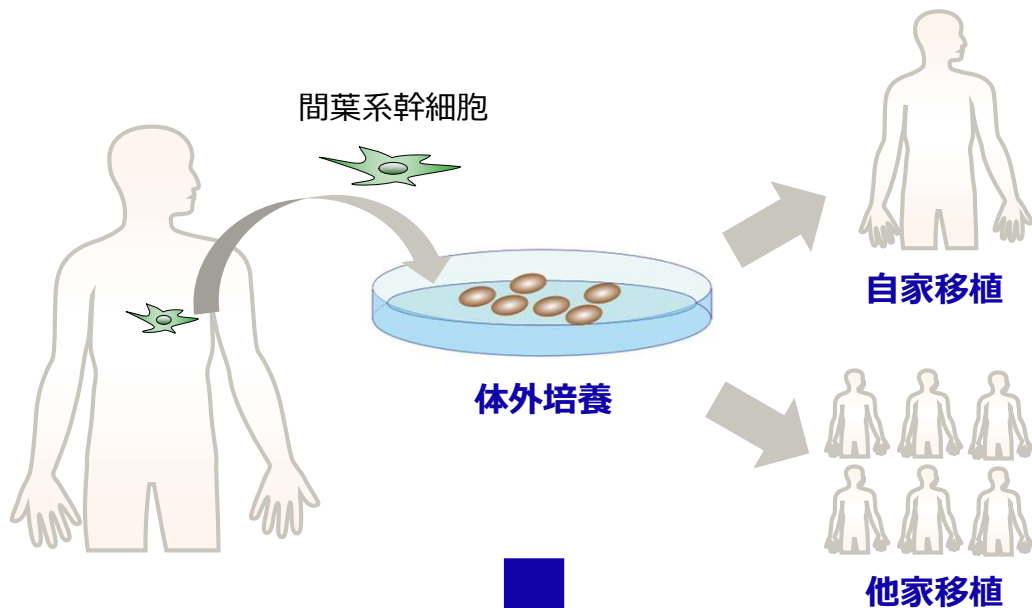


## 外胚葉性間葉系幹細胞は、高い多能性と組織分化能を有している



体外培養を行う過程で間葉系幹細胞は機能低下を生じるが、再生誘導医薬はこれを回避

## 従来の細胞医薬品の製造工程

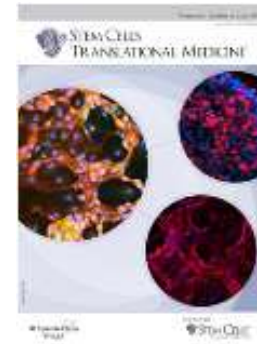


間葉系幹細胞は、生体外で培養される過程で  
間葉系幹細胞としての機能を喪失

(出所) Stem Cell Research & Therapy 2018,9:131



「MSCs細胞治療における効果は、炎症抑制効果と残存する細胞への成長因子の供給にとどまる」との報告(Caplan AI)



「Mesenchymal Stem Cells: Time to Change the Name!」

Arnold Caplan  
June 2017

(出所) Stem Cells Transl Med. 2017 Jun;6(6):1445-1451. doi: 10.1002/sctm.17-0051. Epub 2017 Apr 28.

## 再生誘導医薬は従来型の細胞治療と化合物医薬品の両者の長所を兼ね揃える

		再生誘導医薬	細胞治療	化合物医薬品
有効性	<b>組織再生</b>	大規模な組織損傷にも対応できる	大規模な組織損傷にも対応できる	失った組織を再生することはできない
	<b>作用機序</b>	生体内に備わる組織再生機能を活用	細胞の生理活性を利用するため、効果や作用メカニズムが予想しやすい	作用メカニズムを予想しにくく、想定外の副作用を招くリスクがある
	<b>適応症</b>	同一の化合物で広い適応症をカバーできる可能性	同一の技術プラットフォームで広い適応症をカバーできる可能性	一般に限定された疾患メカニズムに対してのみ効果を有する
安全性	<b>侵襲性</b>	投与するのは本人の幹細胞を動員する化合物医薬品であり、免疫拒絶がない	細胞の採取や移植による患者負担が大きい 他家移植では免疫抑制が必要	薬剤投与による侵襲性は低い
品質	<b>品質管理</b>	化合物であるため、品質管理された安定生産が可能	対外培養操作により細胞が変質(癌化)するリスク有	品質管理が容易で保存安定性も高い
その他	<b>コスト</b>	工業的な計画生産が可能	細胞採取や培養操作、CPCの運営などで大きな製造コストがかかる	大量工業生産により製造コストが安い
	<b>薬事規制</b>	一般的な化合物医薬品の規制に準拠	規制ルールが未整備で不透明 厳格な製造管理への対応が困難	規制項目が定式化しており、対応自体は容易

## 7 事業領域およびパイプラインの概要

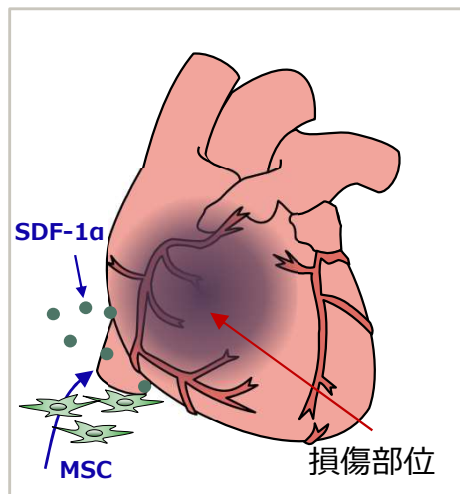
---

## PJ1(HMGB1ペプチド)の開発が先行、長期的成長を担うPJも多数進行中

開発コード	内容	適応症	開発主体	開発段階					導出契約先		
				探索	非臨床	第I相試験	第II相試験	第III相試験			
PJ1 (HMGB1ペプチド)	-01	HMGB1の骨髄間葉系幹細胞動員活性ドメインペプチド	表皮水疱症	大阪大学	[Progress bar]				第II相終了後承認申請予定	塩野義製薬 (S-005151)	
	-02	同上	脳梗塞(急性期)	塩野義製薬	[Progress bar]						
	-03	同上	心筋症(虚血性心筋症・拡張型心筋症)	大阪大学	[Progress bar]				第II相試験準備段階		
PJ2	-01	RIM3	潰瘍性大腸炎 アトピー性皮膚炎	自社(提携予定)	[Progress bar]					-	
	-02	再生誘導医薬新規ペプチドA	複数の組織損傷疾患	自社(提携予定)	[Progress bar]					-	
	-03	再生誘導医薬新規ペプチドB	複数の組織損傷疾患	自社(提携予定)	[Progress bar]					-	
PJ3	-01	生体由来再生誘導タンパク	複数の組織損傷疾患	自社(提携予定)	[Progress bar]					-	
PJ4	-01	治療用自己細胞採取デバイス	難治性潰瘍骨軟骨性疾患	自社(提携予定)	[Progress bar]				ND	-	
PJ5	-01	幹細胞遺伝子治療	表皮水疱症	自社(提携予定)	[Progress bar]				第I/II相試験	なし	-

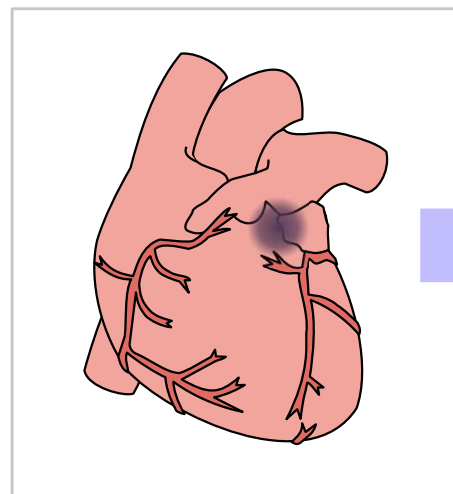
## 損傷部位に間葉系幹細胞を集積させるタンパク質製剤を開発中

損傷部位が大きい場合



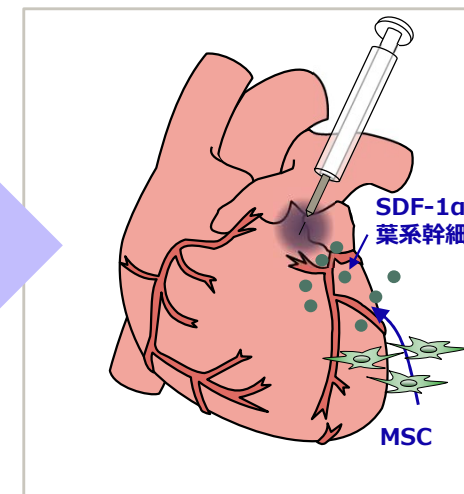
- 損傷部位が大きい場合、血中に動員された間葉系幹細胞を集積させるSDF1-aが放出されている
- = PJ1,2のような作用機序が有効

損傷部位が小さい場合  
or  
時間が経過している場合



- 損傷部位が小さい等、SDF1-aが放出されない場合、効率よく間葉系幹細胞を集積できない
- = 再生誘導医薬の効果を最大限に引き出す併用療法が有効

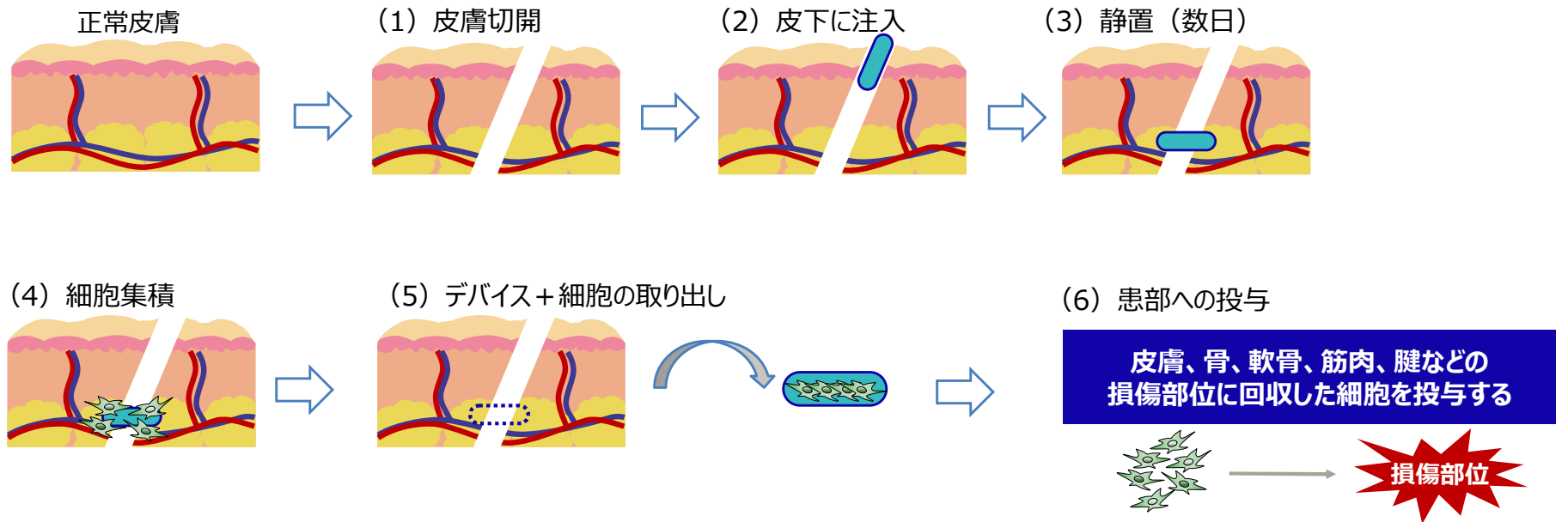
損傷部位への局所投与により、  
効率よく生体内間葉系幹細胞を集積させる



- 局所投与もしくは静脈注射により、生体内の間葉系幹細胞を効率よく幹部に集積させる作用
- = 間葉系幹細胞の損傷部位修復効果を最大限に引き出す

- ✓ これまで候補タンパク質を複数同定済み
- ✓ 動物実験で良好な成績を確認している
- ✓ 現在、複数のモデル動物実験により、最適な適応症の選定を進めている

## 生体内で動員される間葉系幹細胞を収集するデバイスの開発中



- ✓ これまでの動物実験で当デバイスが良好な幹細胞回収能力を有することを確認
- ✓ 数種類の疾患モデル動物による薬効試験によって、最適な適応症の選定
- ✓ 臨床試験の開始までに必要となる非臨床試験を実施

## 幹細胞遺伝子治療によって難治性遺伝病の根治を目指す

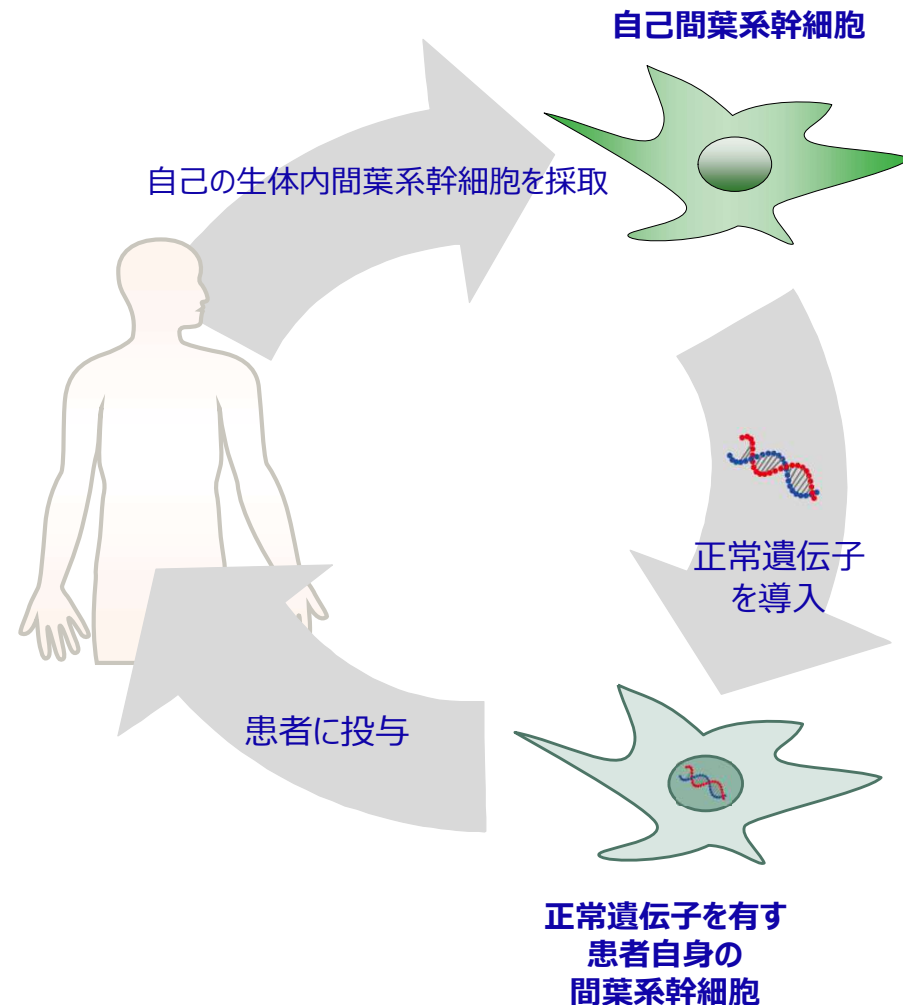
### 手法

遺伝病患者本人の間葉系幹細胞に対し、正常な遺伝子を導入し、患部に移植する



### 期待される効果

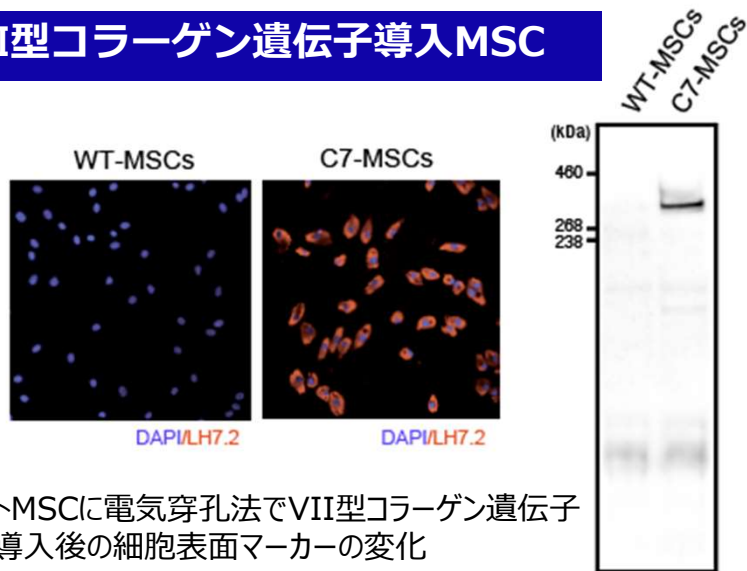
- 治療用遺伝子産物による疾患治療効果が期待できる。
- 自己生体内間葉系幹細胞が有する組織修復促進作用（細胞遊走作用、トロフィック作用、免疫調節作用、瘢痕調節作用など）が期待できる。
- 自己の細胞を使用するため免疫拒絶反応の軽減が期待できる。
- 間葉系幹細胞自身に免疫寛容効果があるため、生着期間の延長が期待できる。





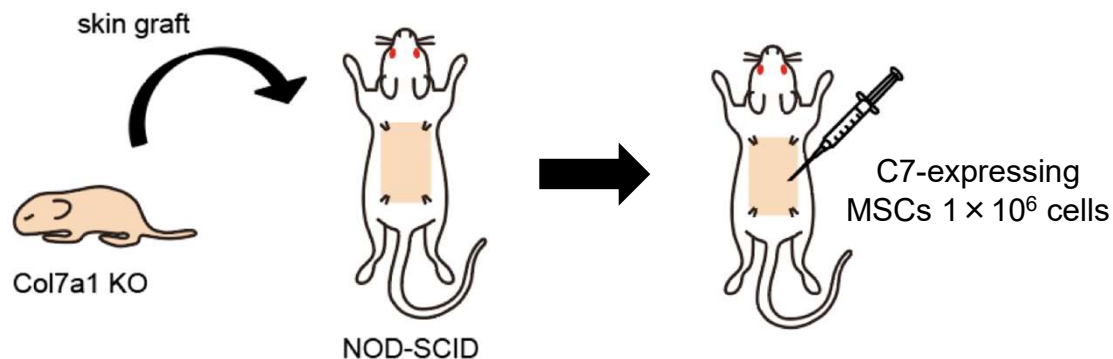
## VII型コラーゲン遺伝子発現間葉系幹細胞の表皮水疱症に対する有効性

### VII型コラーゲン遺伝子導入MSC



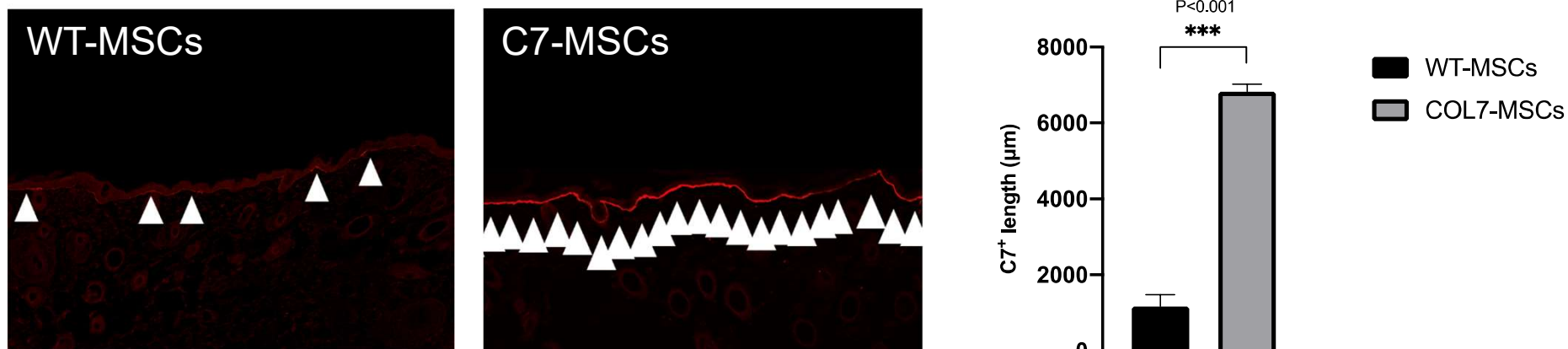
ヒトMSCに電気穿孔法でVII型コラーゲン遺伝子を導入後の細胞表面マーカーの変化

### 表皮水疱症治療モデルマウス



免疫不全マウスに表皮水疱症モデルマウスの皮膚を移植した後、VII型コラーゲン遺伝子導入MSCを投与し皮膚病態改善効果を観察

### VII型コラーゲン遺伝子導入MSCを用いた表皮水疱症に対する有用性



## PJ1 : 表皮水疱症 (小腸粘膜の保護・再生)

(粘膜上皮の正常化、瘢痕拘縮の改善)

HMGB1ペプチド



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

コントロール



(HE染色)

## PJ1 : 心筋症 線維化抑制(線維化領域が減少)

HMGB1ペプチド



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

コントロール

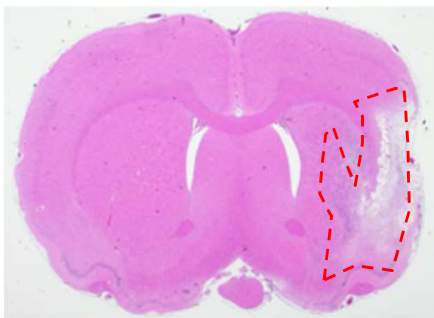


(Sirius red染色)

梗塞巣

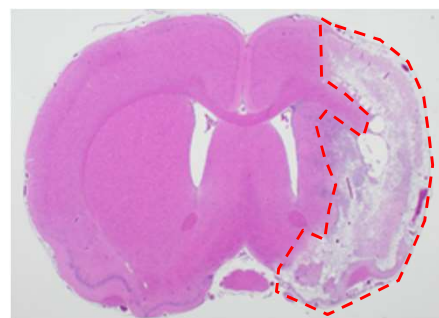
## PJ1 : 脳梗塞 脳保護(梗塞巣の縮小)

HMGB1ペプチド



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

コントロール



(HE染色)

梗塞巣

## PJ1 : 潰瘍性大腸炎 (潰瘍の状態が回復)

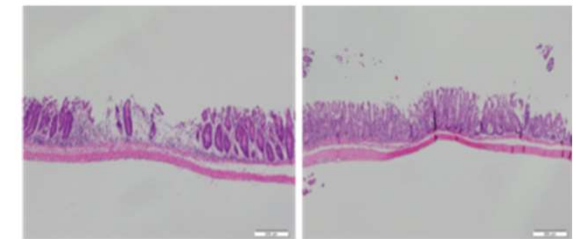
正常大腸



精製水

(出所) 当社と大阪大学との共同研究

疾患マウス

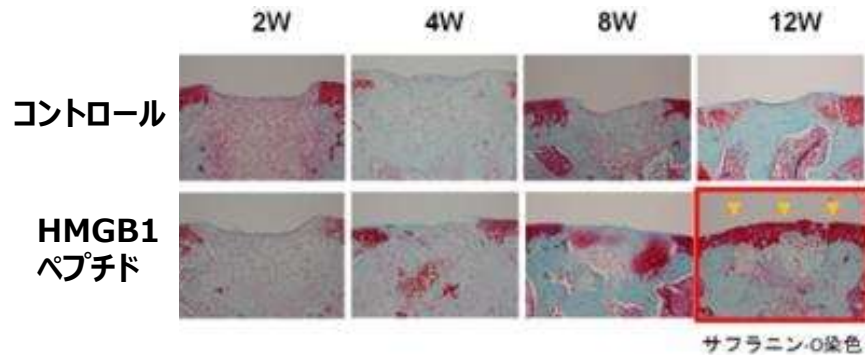


コントロール

HMGB1ペプチド

## PJ1 : 外傷性軟骨損傷・変形性膝関節症

HMGB1ペプチドによる軟骨再生を確認



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

## PJ1 : 外傷性脳損傷

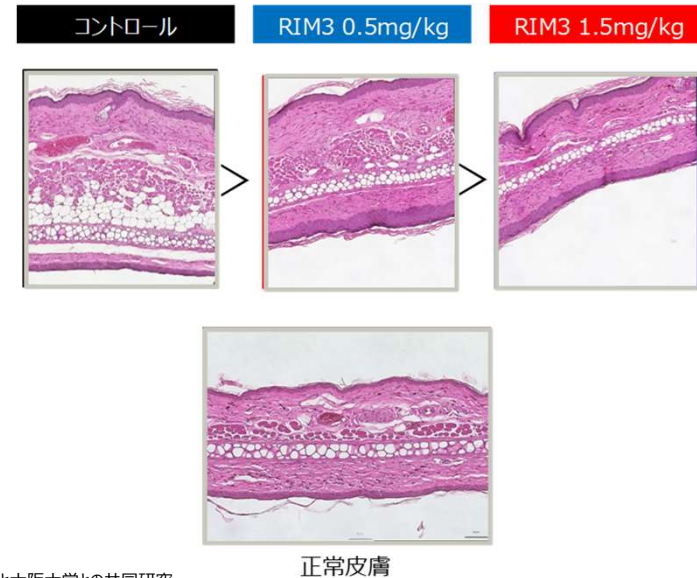
損傷部位の再生を確認



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

## PJ2 : アトピー性皮膚炎 皮膚病理組織

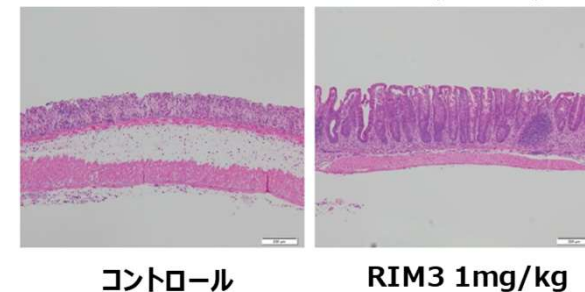
(HE染色)



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

## PJ2 : 潰瘍性大腸炎

10日目の大腸粘膜の病理画像(HE染色)



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

8

**PJ1-02 HMGB1に関する脳梗塞を対象とした第Ⅱ相臨床試験について（塩野義製薬による企業治験）**

治験概要		
治験名称	S-005151の急性期脳梗塞患者を対象とした第2相二重盲検比較試験	
デザイン	対象疾患	急性期脳梗塞
	試験実施者	塩野義製薬株式会社
	試験期間	2019/9/1～2021/9/30（予定）
	用法	静脈内点滴投与、1日1回、5日間
	目標症例数、対象	150例（60～84才の男女）
	適格基準	<ul style="list-style-type: none"> <li>・核磁気共鳴画像法（MRI）検査でテント上を主梗塞部位とした脳梗塞であると診断された患者</li> <li>・脳梗塞発症<b>4時間30分後から24時間以内</b>に登録できる患者</li> <li>他</li> </ul>
目的	主要評価項目	<b>有効性を投与開始90日後のmRSにて評価</b>
現状	実施中	

※mRS = modified Rankin Scale(脳卒中または神経障害の他の原因に苦しんでいる人々の日常活動における障害または依存の程度を測定するために一般的に使用されるスケール)

※臨床試験情報より（<https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp>）

◆mRS (= modified Rankin Scale) とは脳卒中または神経障害の他の原因に苦しんでいる人々の日常生活における障害または依存の程度を測定するために一般的に使用されるスケール。

modified Rankin Scale		参考にすべき点
0	まったく症候がない	自覚症状および他覚徴候がともにない状態である
1	症候はあっても明らかな障害はない： 日常の勤めや活動は行える	自覚症状および他覚徴候はあるが、発症以前から行っていた仕事や活動に制限はない状態である
2	軽度の障害： 発症以前の活動がすべて行えるわけではないが、自分の身の回りのことは介助なしに行える	発症以前から行っていた仕事や活動に制限はあるが、日常生活は自立している状態である
3	中等度の障害： 何らかの介助を必要とするが、歩行は介助なしに行える	買い物や公共交通機関を利用した外出などには介助*を必要とするが、通常歩行 <sup>†</sup> 、食事、身だしなみの維持、トイレなどには介助*を必要としない状態である
4	中等度から重度の障害： 歩行や身体的要求には介助が必要である	通常歩行 <sup>†</sup> 、食事、身だしなみの維持、トイレなどには介助*を必要とするが、持続的な介護は必要としない状態である
5	重度の障害： 寝たきり、失禁状態、常に介護と見守りを必要とする	常に誰かの介助*を必要とする状態である
6	死亡	

\*介助とは、手助け、言葉による指示および見守りを意味する。

†歩行は主に平地での歩行について判定する。なお、歩行のための補助具(杖、歩行器)の使用は介助には含まない。

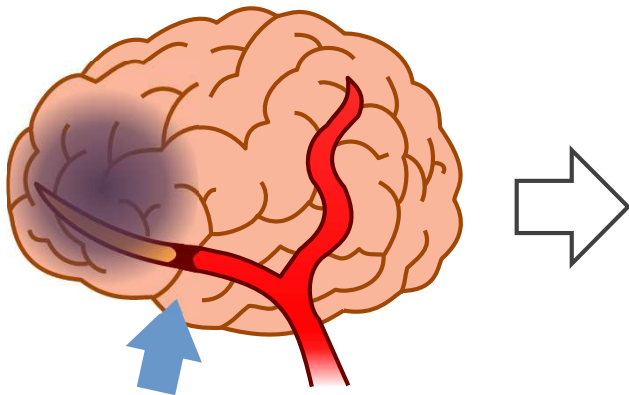
(van Swieten JC, Koudstaal PJ, Visser MC, Schouten HJ, van Gijn J. Interobserver agreement for the assessment of handicap in stroke patients. Stroke 1988 ; 19 : 604-607)

(篠原幸人, 峰松一夫, 天野隆弘, 大橋靖雄: mRS信頼性研究グループ. modified Rankin Scaleの信頼性に関する研究-日本語版判定基準書および問診表の紹介. 脳卒中 2007 ; 29 : 6-13)

(Shinohara Y, Minematsu K, Amano T, Ohashi Y. Modified Rankin Scale with expanded guidance scheme and interview questionnaire: Interrater agreement and reproducibility of assessment. Cerebrovasc Dis 2006 ; 21 : 271-278)

(※一般社団法人日本神経治療学会：脳卒中ガイドライン2009より)

脳動脈が閉鎖⇒脳梗塞の発生



閉鎖した脳動脈

## 急性期脳梗塞における一般的な治療法

発生～  
4.5時間

### 血栓溶解療法（t-PA治療）

血栓溶解薬（t-PA）を静脈注射する方法か、カテーテルを使って患部に直接流し込む方法（経皮的冠動脈血栓溶解療法）のどちらかで行われ、血栓を溶かして血流を再開させる治療法。再開通率が低いこと（約30～40%）や適応時間が短いことが問題であり、その適応患者も限られている。

発生～  
8時間

### 機械的血栓回収療法

カテーテル・血栓回収デバイスを用いて血栓を回収する治療法。カテーテルを足の血管から挿入して、頭の中の脳血管へ進め、血管を塞いでいる血栓を回収し、閉塞した脳血管を再開通させる。これらの治療は、腿の血管から挿入したデバイスを、頭蓋内で梗塞を生じた血管まで挿入した上で行われるもので、血管を傷つけてしまうリスクが常に伴い、訓練を受けた専門医でないと治療が難しい。

早期治療が困難な場合を想定し、  
より時間的制約が緩和された新薬の開発が必要

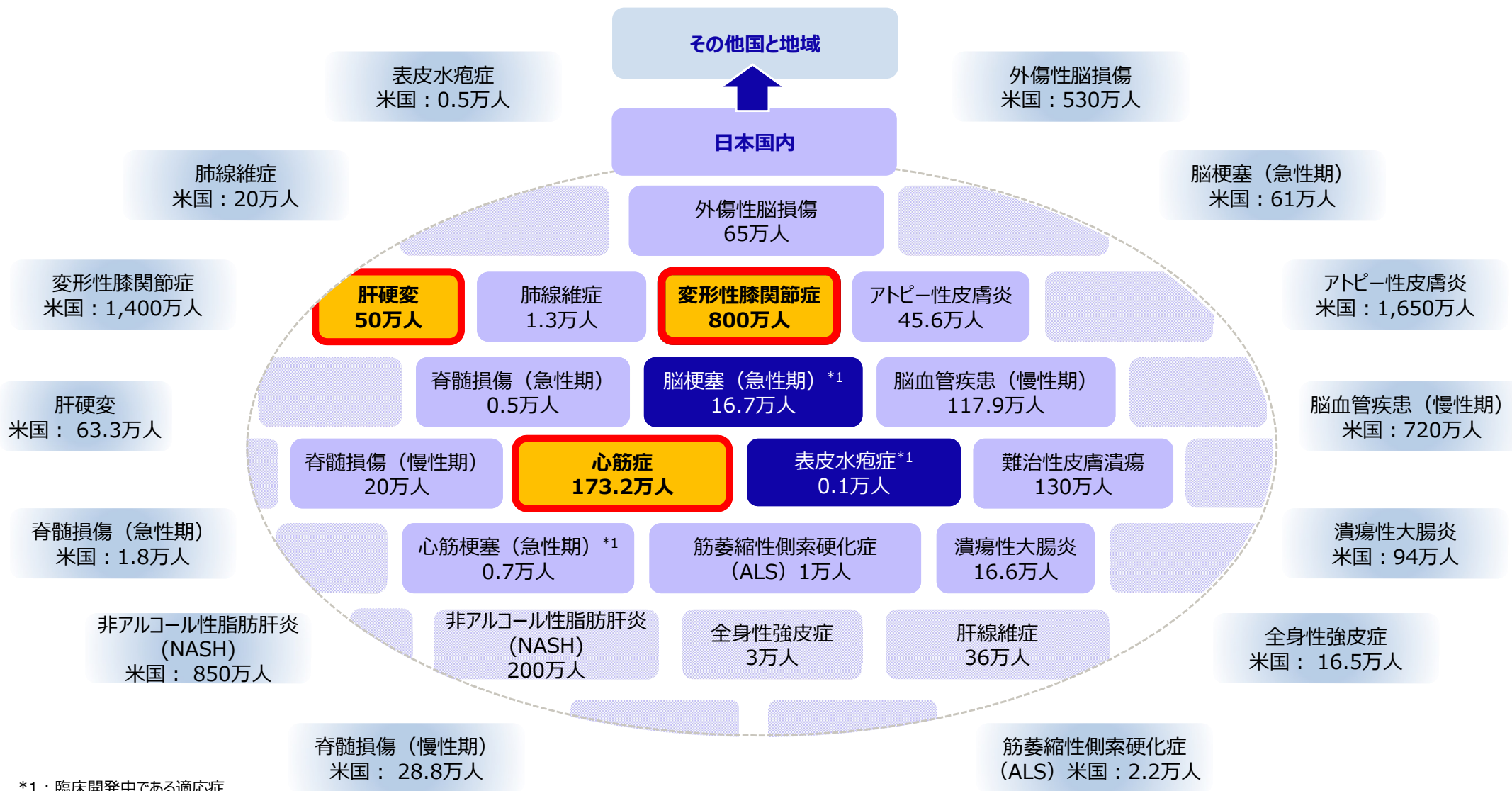
## 9 今後の成長戦略

---



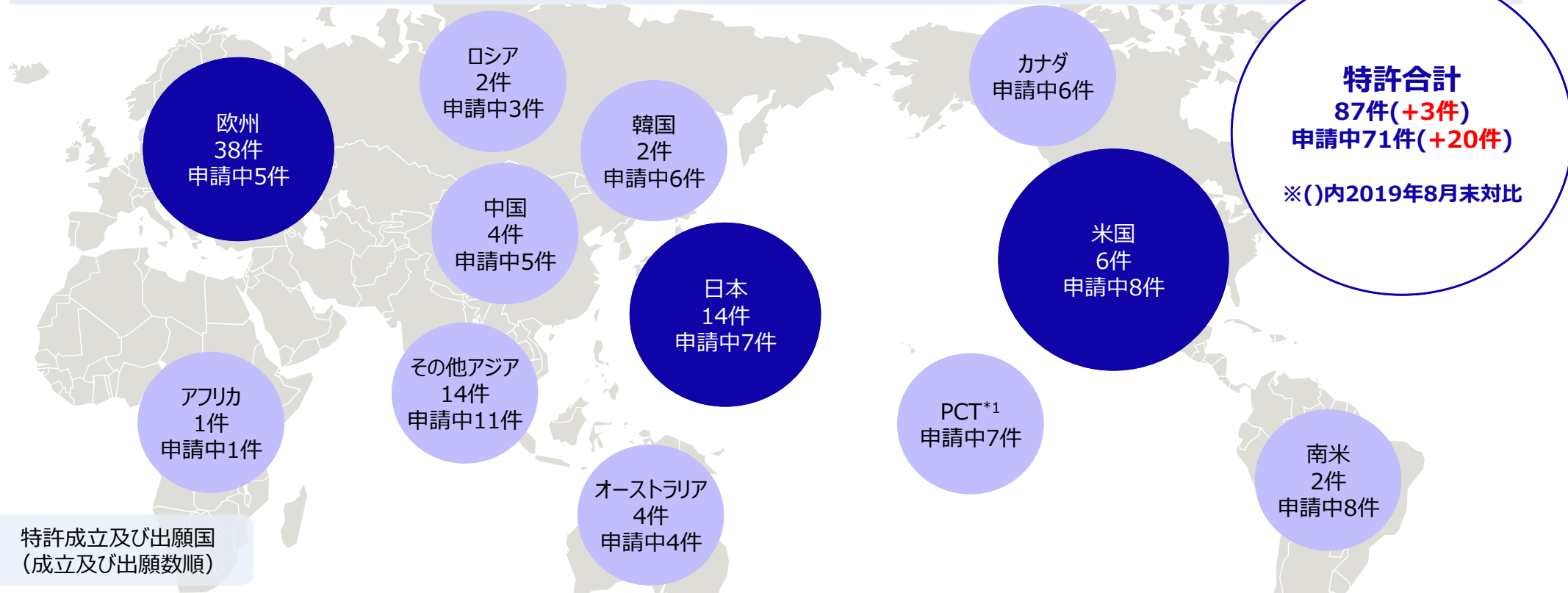
MSCでの治療効果が見込める領域すべてがターゲット

**：** 2020年中の治験開始を目指す



\*1：臨床開発中である適応症

## 世界各国にて特許が成立。グローバル展開を目指す



**特許合計**  
**87件(+3件)**  
**申請中71件(+20件)**  
 ※()内2019年8月末対比

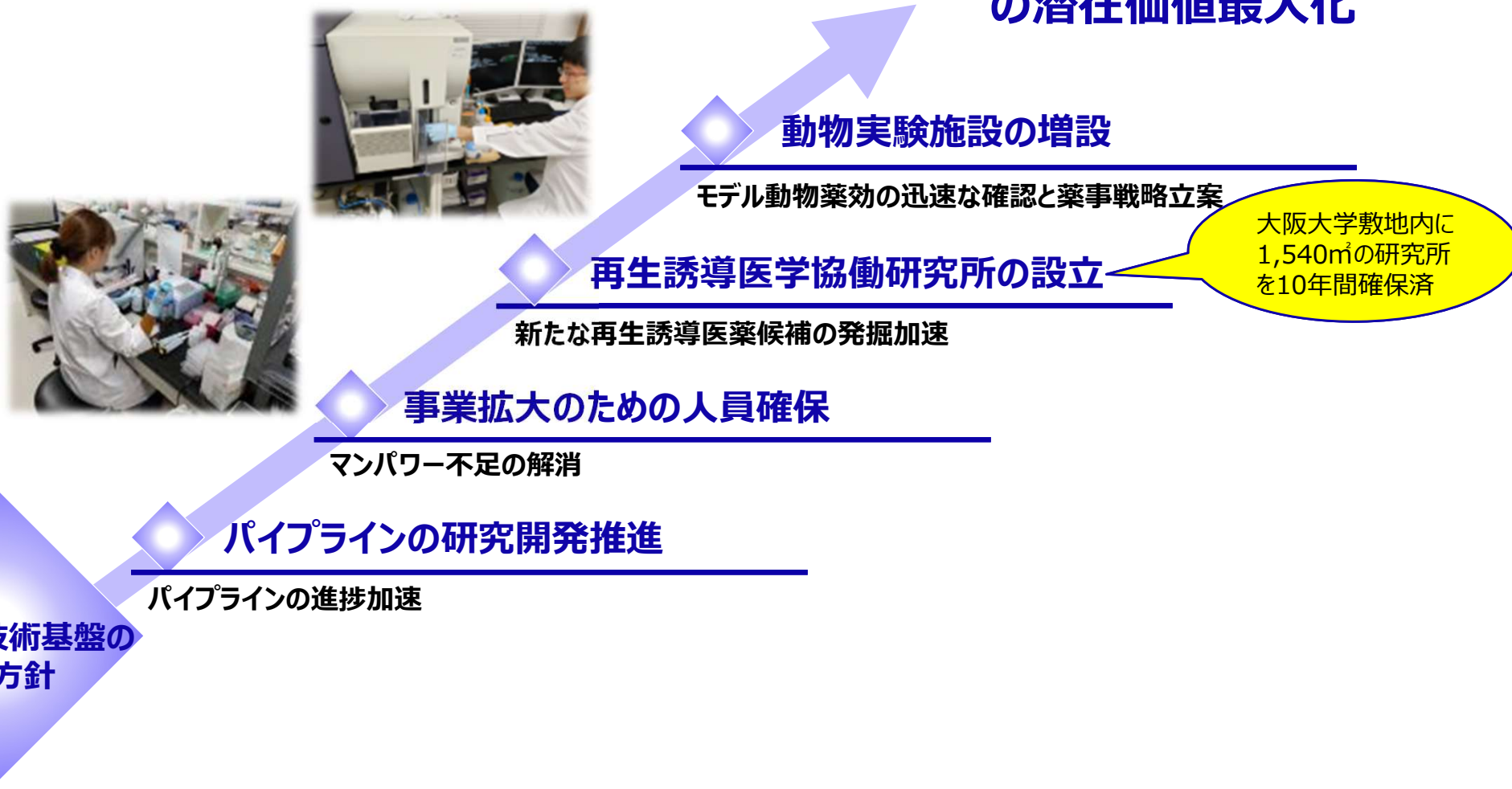
特許成立及び出願国  
 (成立及び出願数順)



\*1:PCT:特許協力条約加盟国  
 注：2020年2月末時点

再生誘導技術基盤を強化し、再生誘導医薬の普及を加速していく

## 再生誘導医薬 の潜在価値最大化



10

大阪大学テクノアライアンス棟における  
「再生誘導医学協働研究所」の開設について

テクノアライアンス棟外観



研究スペース（一部抜粋）

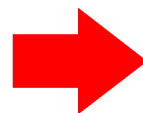


## 研究所の概要

名称	再生誘導医学協働研究所 (2020年7月期第4四半期開設予定)
住所	大阪府吹田市山田丘2番8号 大阪大学テクノアライアンスA棟6、7階、B棟6、7階
面積	1,540m <sup>2</sup>
費用	総額21億円（契約期間10年間の賃料、人件費、 試薬消耗品等の研究開発費を含む）

大阪大学内の幅広い学部・学科との  
緊密かつ横断的・効率的な連携

大阪大学に限らない国内外の  
他大学・研究機関との新たな共同研究



**再生誘導医薬の世界的な  
リーディングカンパニーとしての  
地歩を更に確固たるものに**