

# 事業計画及び成長可能性に関する事項の開示



(4592) サンバイオ株式会社

2021年4月28日

---

|     |      |     |   |
|-----|------|-----|---|
| I   | ご挨拶  | ．．． | 2 |
| II  | 会社概要 | ．．． | 4 |
| III | 事業概要 | ．．． | 8 |

---

# I ご挨拶



2001年、バイオ医薬品開発のメッカである米国サンフランシスコ・ベイエリア（シリコンバレー）で創業した私たちは、創業以来一貫して再生細胞薬による脳の再生に取り組み、世界市場を見据えて事業を展開してきました。

2014年には、これまで全く治療薬の無かった慢性期脳梗塞という疾患に対し、私たちの再生細胞薬のヒトでの安全性・有効性が、米国FDA（食品医薬品局）規制下のフェーズ I / II a 臨床試験にて確認されました。また、2018年には、慢性期外傷性脳損傷という疾患においても、日米でのフェーズ 2 臨床試験にて、安全性・有効性が確認されました。

一方、再生医療を取り巻く環境は、2014年に日本で再生医療新法が施行され、世界で最も早い再生医療製品の承認取得が可能になり、次いで、2016年には米国で21st Century Cures Act（21世紀治療法）が可決され、再生医療関連製品に係る承認制度の整備や新薬承認のスピードアップが図られるなど、整備が進んでいます。

このような環境下において、私たちは、次世代のバイオ医薬品である再生細胞薬という全く新しい分野を創出し、グローバルリーダーを目指します。まずは、この好機に日本において再生細胞薬の製品化を実現し、世界市場で堂々と戦えるバイオ企業として成長を加速してゆく所存ですので、皆様方には、今後ともご指導ご鞭撻のほど、よろしくお願い申し上げます。



**代表取締役社長  
森 敬太**

## Ⅱ 会社概要



---

会社名                    サンバイオ株式会社

---

設立                      2013年2月（SanBio, Inc.創業は2001年2月）

---

代表者（創業者）      代表取締役会長 川西 徹、 代表取締役社長 森 敬太

---

創業科学者              慶応義塾大学 岡野栄之教授

---

事業内容                再生細胞医薬品の開発・販売

---

所在地                    東京都中央区明石町8番1号

---

子会社（所在国）      SanBio, Inc.（米国）    /    SanBio Asia Pte. Ltd.（シンガポール）

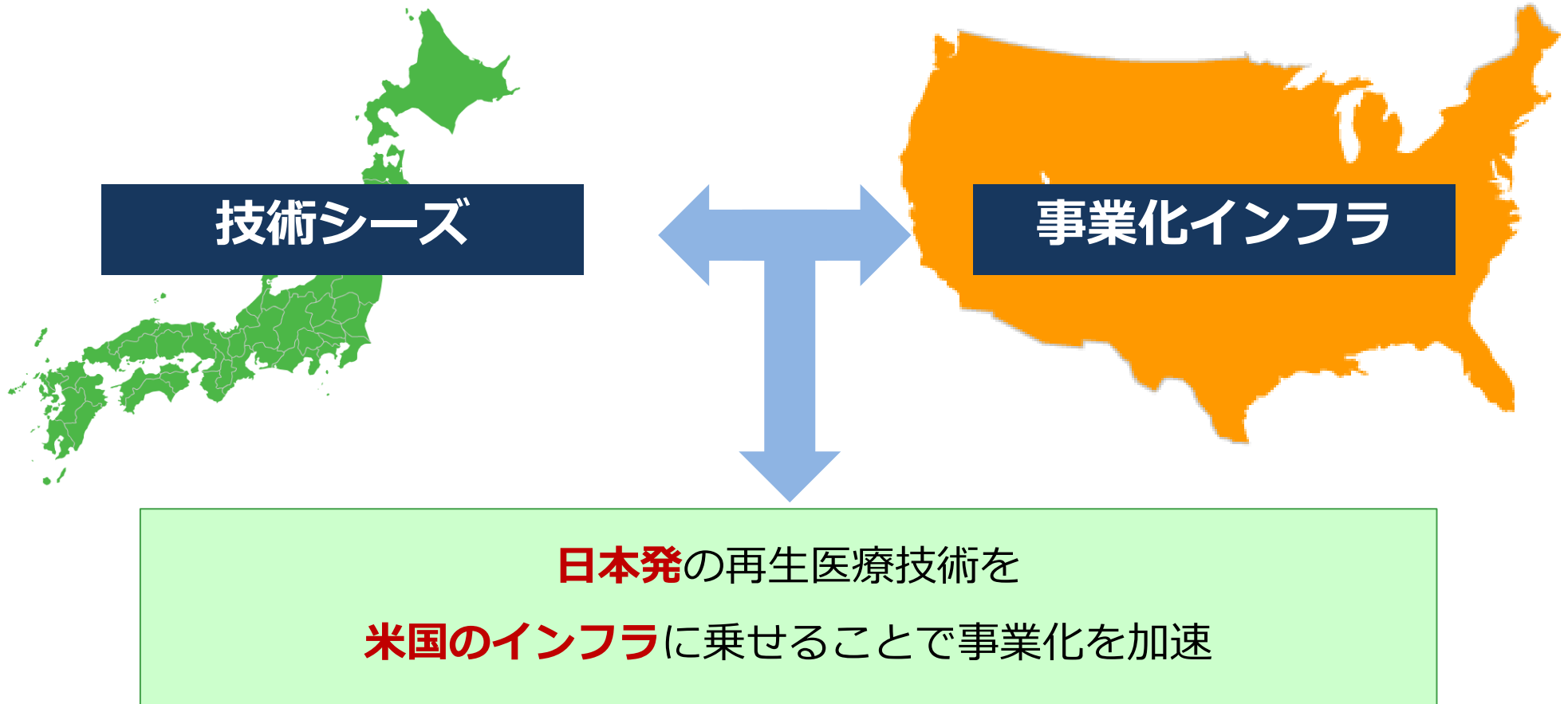
---

従業員数                連結：85名    /    単体：36名（2021年1月31日現在）

---

## 日本発・世界初の再生細胞薬の実現を目指す

2001年、SanBio,Inc.を  
サンフランシスコ・ベイエリアに設立



## 再生細胞薬のグローバルリーダーを目指す（2001年設立時のまま）



### 再生医療の中心地

医薬品開発企業から**製薬企業**へ

✓ SB623※慢性期外傷性脳損傷（TBI）プログラムの国内自社販売の実現



### 各地へ事業展開

**グローバルリーダー**へ

✓ SB623※の価値最大化  
グローバルローンチの実現  
グローバル製品供給体制の確立  
✓ パイプラインの強化


※ SB623とは、当社が開発を行っている再生細胞薬のパイプラインの一つ。SB623の適応疾患については、25ページをご参照ください。



## Ⅲ 事業概要


Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）

Point 2  有効性

Point 3  量産化技術の確立

Point 4  高い成長性

## Ⅲ 事業概要

Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）

Point 2  有効性

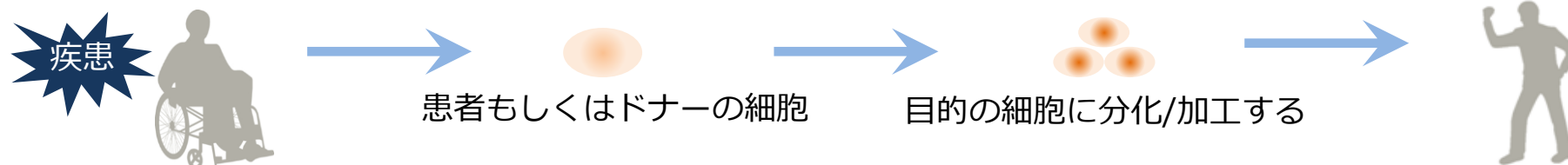
Point 3  量産化技術の確立

Point 4  高い成長性

## 再生医療は従来なし得なかった根治治療を可能に

### 再生医療とは

- ▶ 「損傷を受けた生体の機能を、幹細胞などを用いて復元または活性化させる医療」



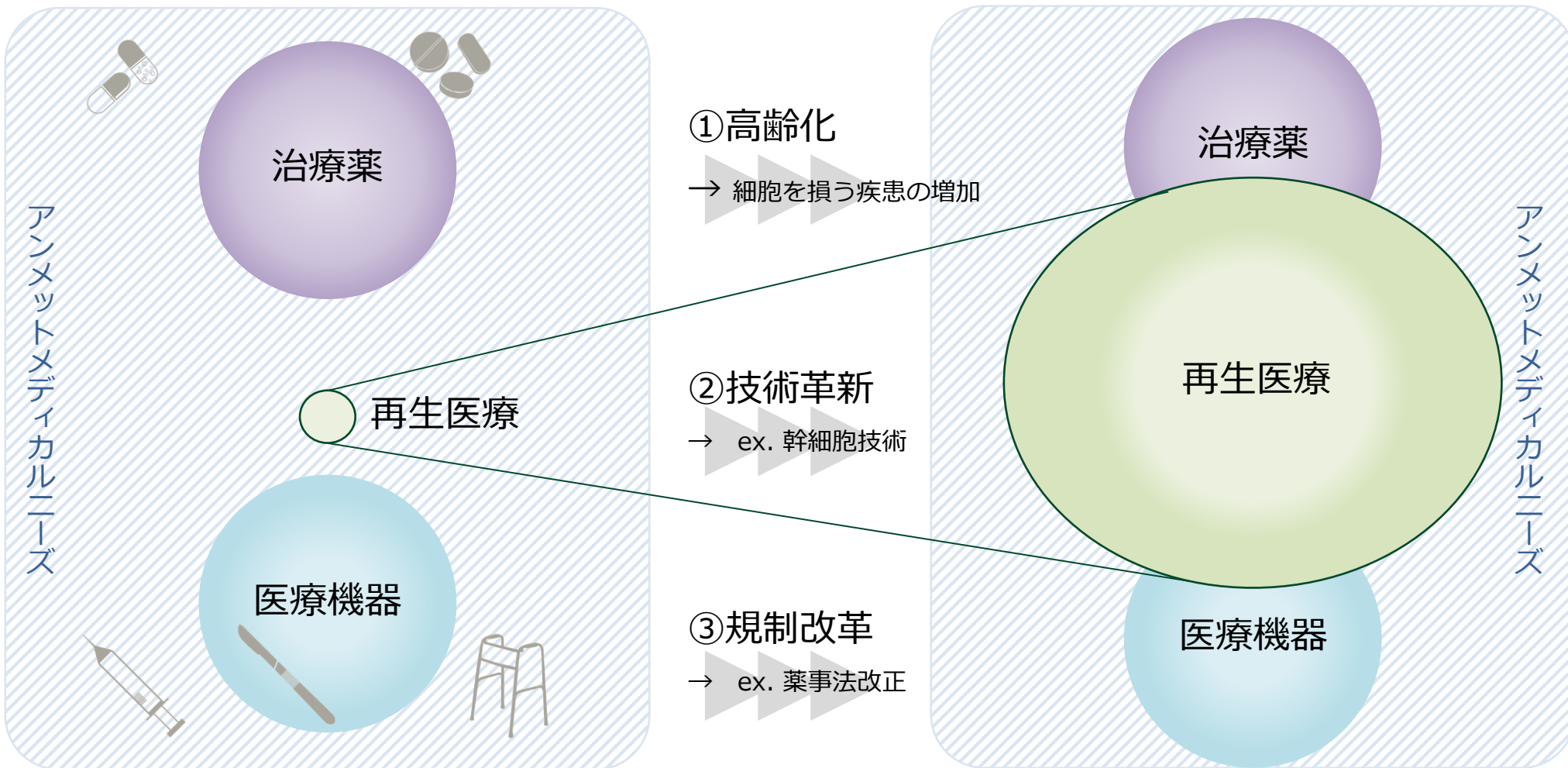
### 再生細胞薬とは

- ▶ 当社グループが手掛ける**再生細胞薬**は、病気・事故等で失われた身体機能の自然な再生プロセスを誘引ないし促進させ、運動機能、感覚機能、認知機能を再生させる効能が期待される**医薬品**。

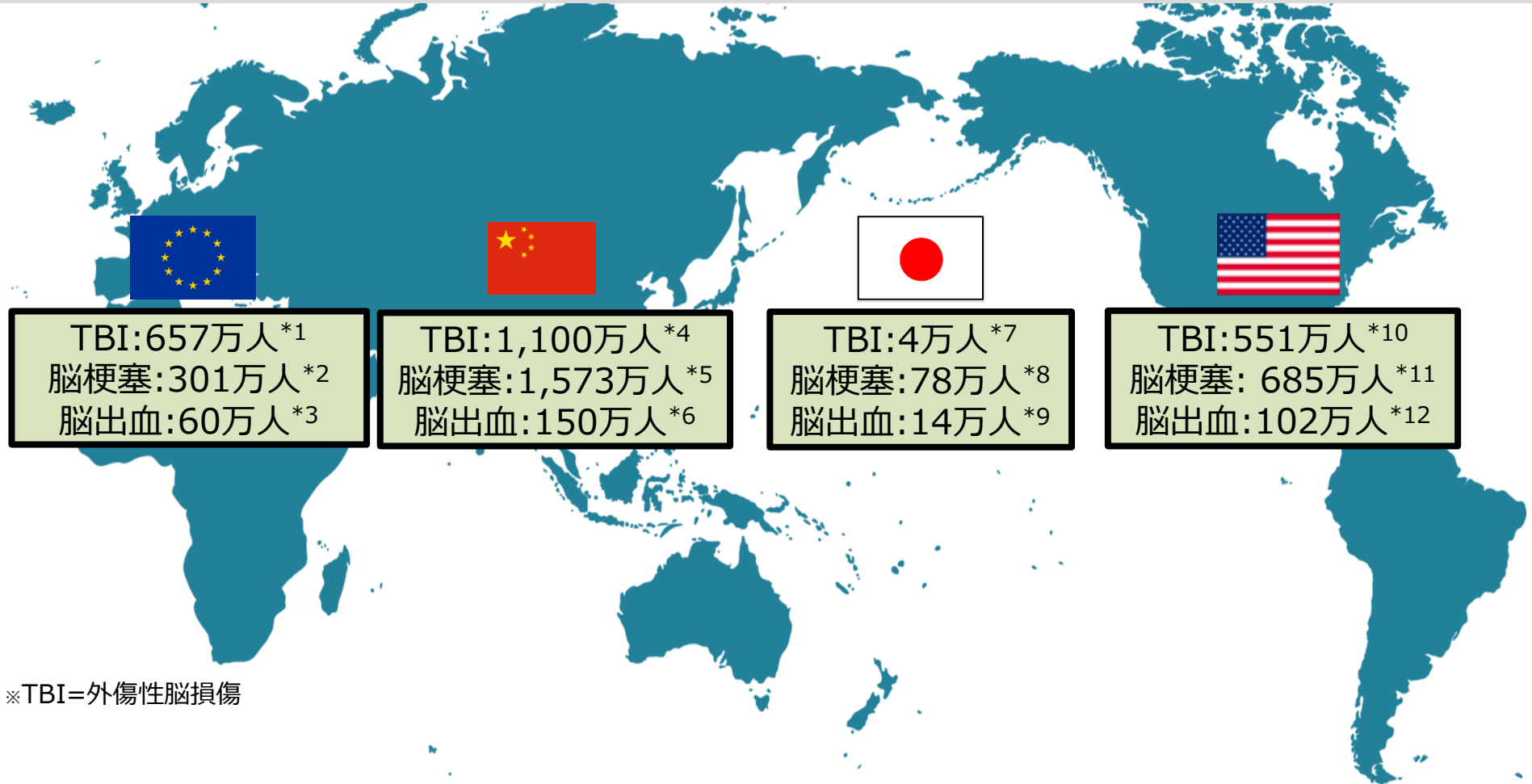
## 再生医療市場が顕在化する

現在

将来



## 有効な治療法が存在せず患者数も極めて多い



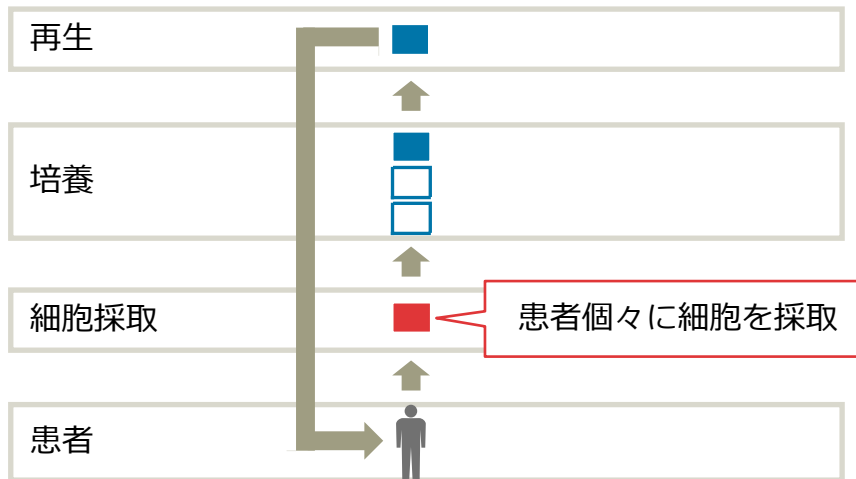
※TBI=外傷性脳損傷

\*1~\*3,\*10~\*12:複数文献に基づく自社分析  
 \*4:Arch Neurol. 1986;43(6):570-572 (Wang et al.)  
 \*5:Circulation. 2017;135:759-771 (Wang et al.)  
 \*6:GHDx Healthdata IQVIA analysis 2020

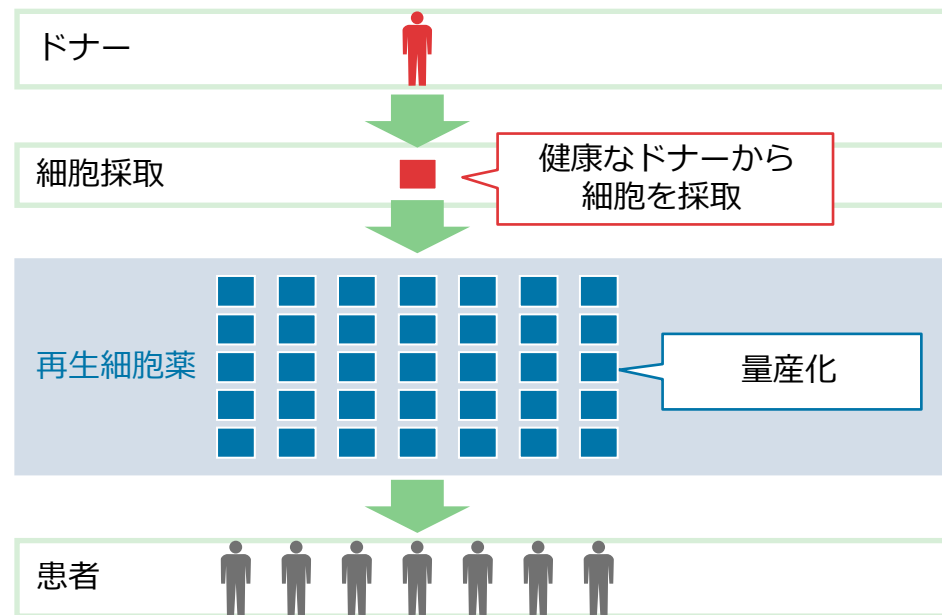
\*7:厚生労働省患者調査2017「頭蓋内損傷」の患者数  
 \*8:厚生労働省患者調査2017「脳梗塞」の患者数  
 \*9:厚生労働省患者調査2017「脳内出血」の患者数

## 再生細胞薬は量産化により収益性が高い

### 自家移植



### 他家移植



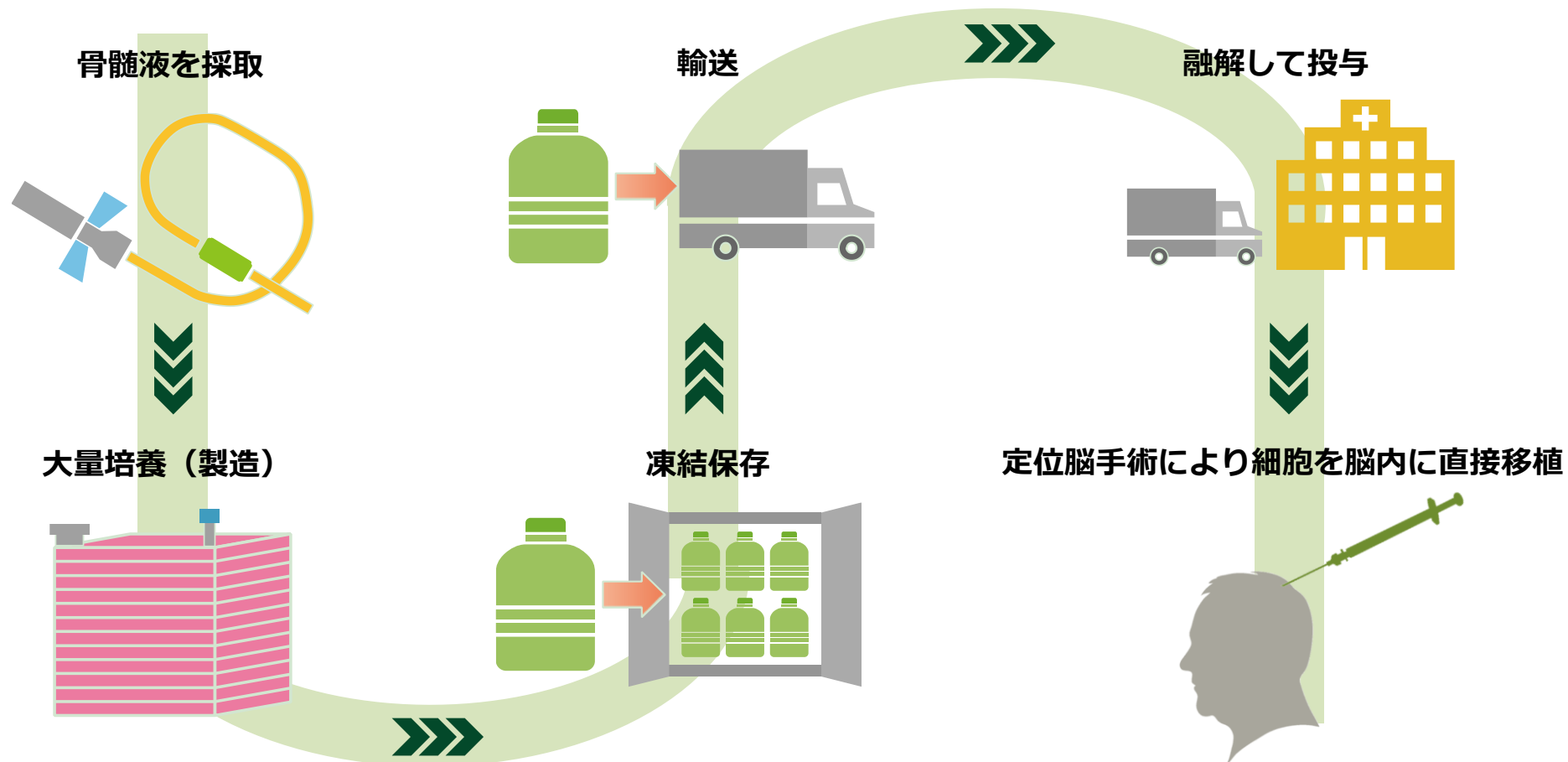
「サービス」



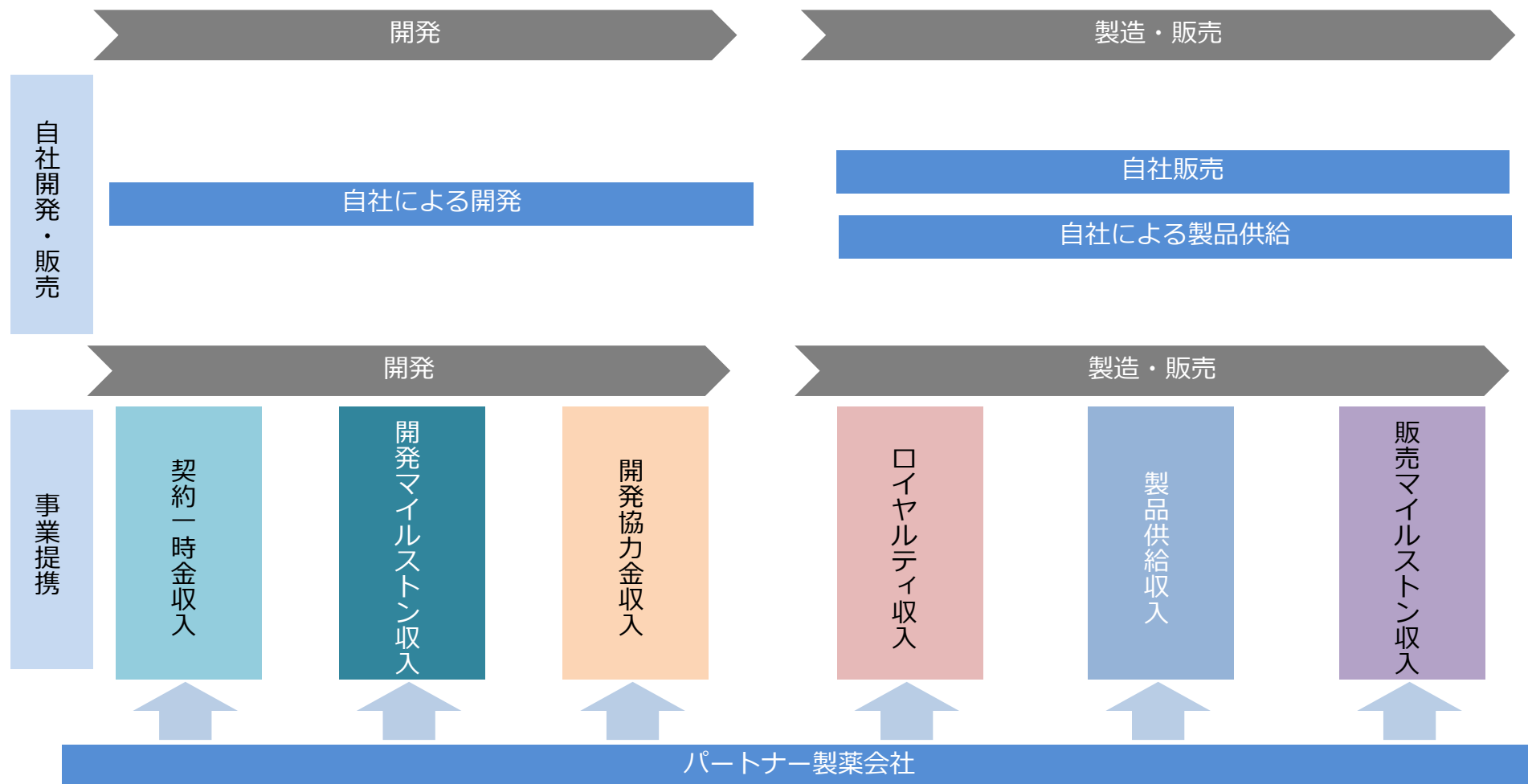
「製品」

## 従来の製薬企業モデルが適用できる

製造から投与までの流れ



## 収入は自社開発・自社販売、又は 製薬企業との事業提携による収入を見込む



(注) 国内SB623慢性期外傷性脳損傷プログラムについては、自社販売を目指す。その他のプログラムについては、状況に応じて、自社販売又は製薬企業との事業提携の選択を検討する。



## Ⅲ 事業概要

Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）

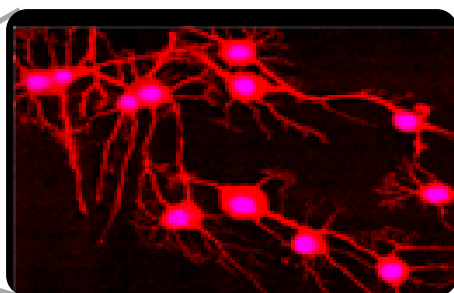
Point 2  有効性

Point 3  量産化技術の確立

Point 4  高い成長性

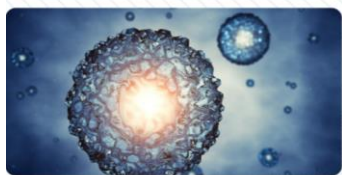
## 再生細胞薬SB623は神経再生作用を持つ細胞からなる医薬品

SB623とは

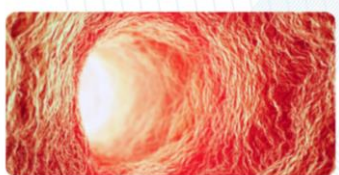


▲神経再生細胞

SB623の作用



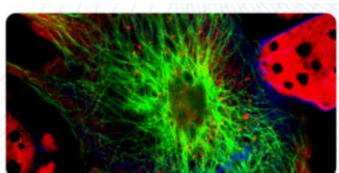
神経細胞をつくる



血管をつくる

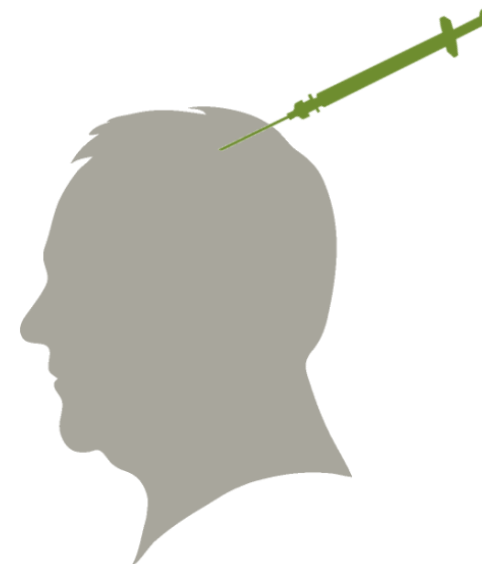


神経細胞をまもる



炎症を抑える

SB623の投与方法



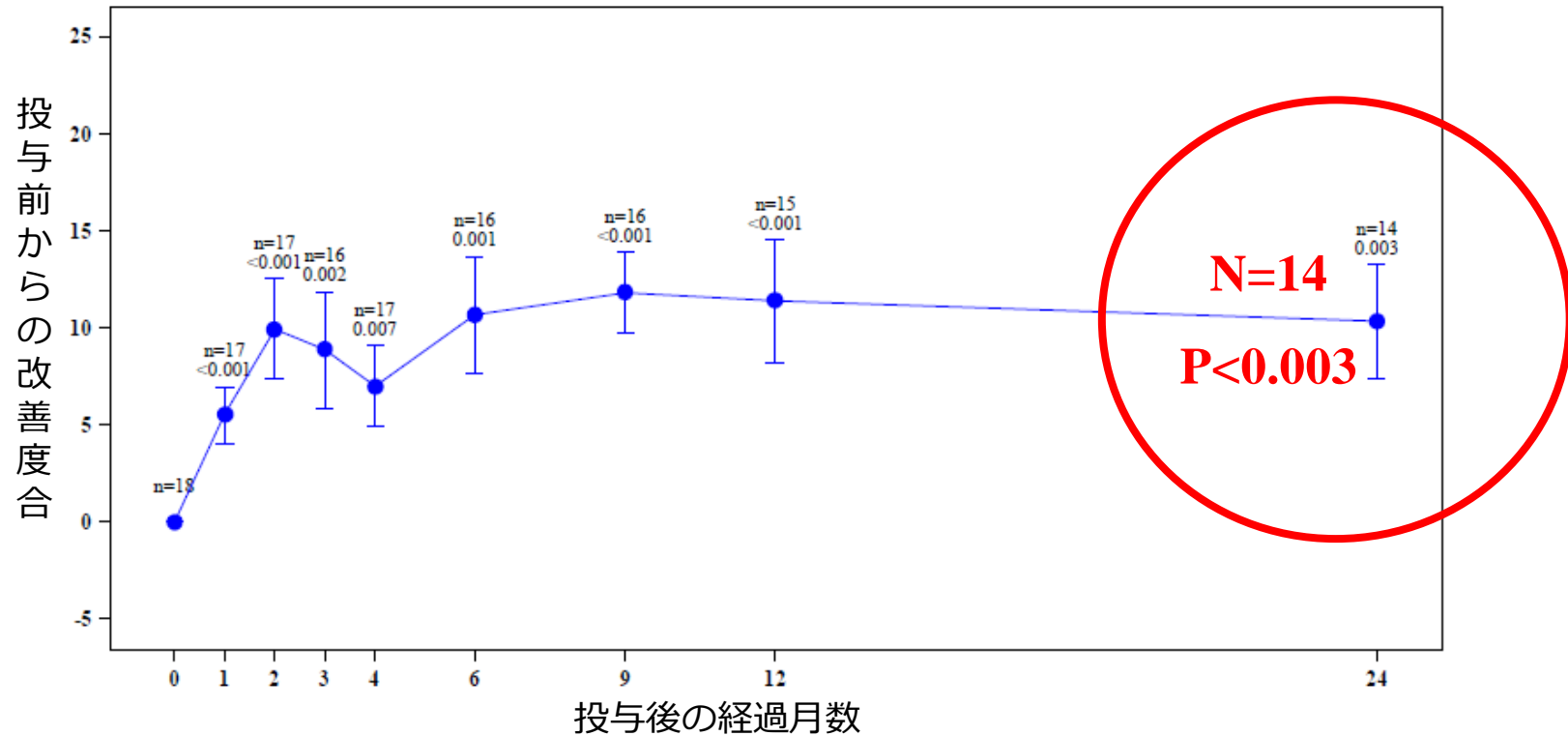
定位脳手術により細胞を脳内に直接移植

- 局所麻酔

# SB623慢性期脳梗塞フェーズ I / II aにおいて安全性・有効性を確認

## 慢性期の脳梗塞患者に対するSB623の有効性

Fugl-Meyer(Motor) Scale運動機能の指標  
(2016年2月現在)

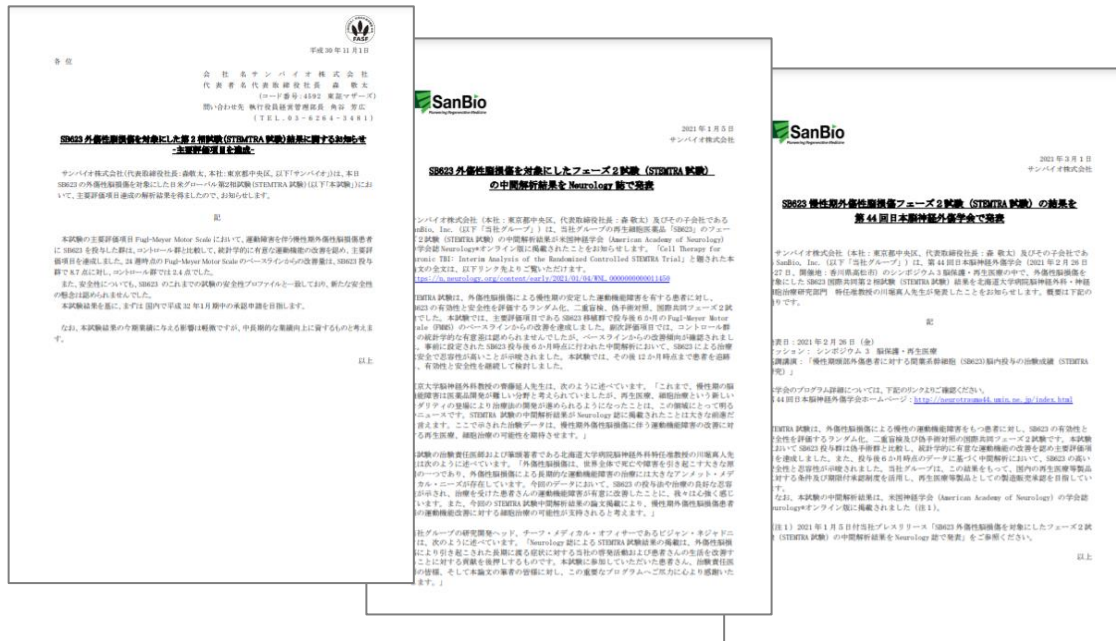


- 一般的にフェーズ1/2a試験で統計学的有意差 (P<0.05) を得ることは難しい
- P<0.05を大きく下回る結果が得られた

# SB623慢性期外傷性脳損傷フェーズIIにおいて安全性・有効性を確認

## 慢性期の外傷性脳損傷患者に対するSB623の有効性


主要評価項目 Fugl-Meyer Motor Scaleのベースラインからの改善量は、24週時点で、SB623投与群で**8.7点**、コントロール群で**2.4点**。投与群とコントロール群を比較して、統計学的に有意な運動機能の改善が認められた。



## Ⅲ 事業概要

Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）

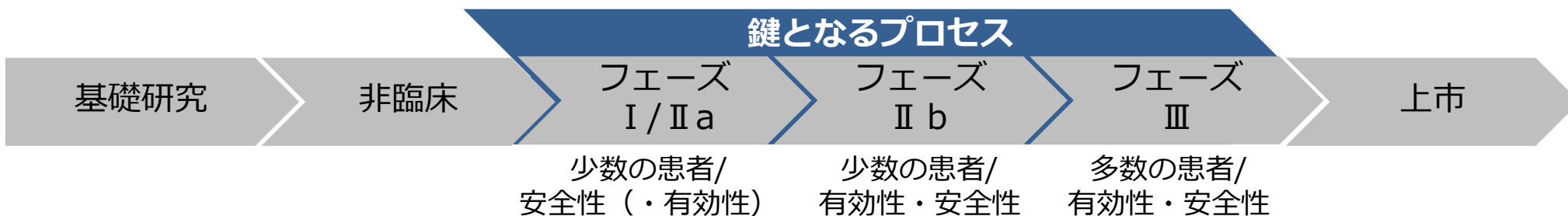
Point 2  有効性

Point 3  量産化技術の確立

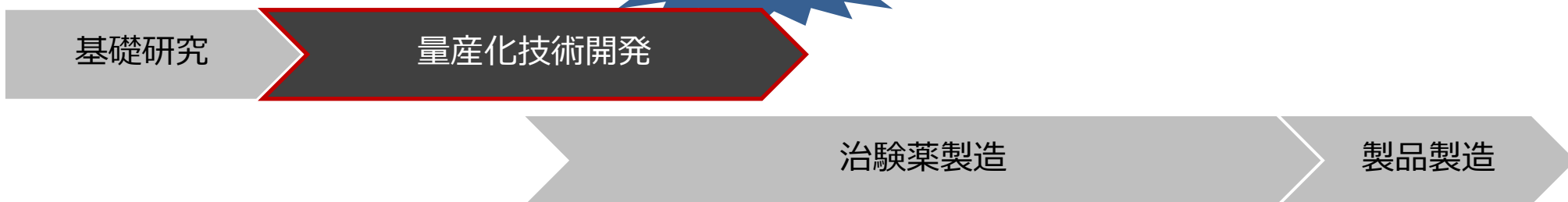
Point 4  高い成長性

## 再生医療では有効性の確認に加えて、量産化技術の確立が鍵を握る

### 安全性・有効性の確認



### 量産化・製造プロセスの確認



## サンバイオの再生細胞薬は“死の谷”を越えた

基礎研究

製造プロセス開発

臨床試験

実用化

量産化技術の開発が  
“死の谷”

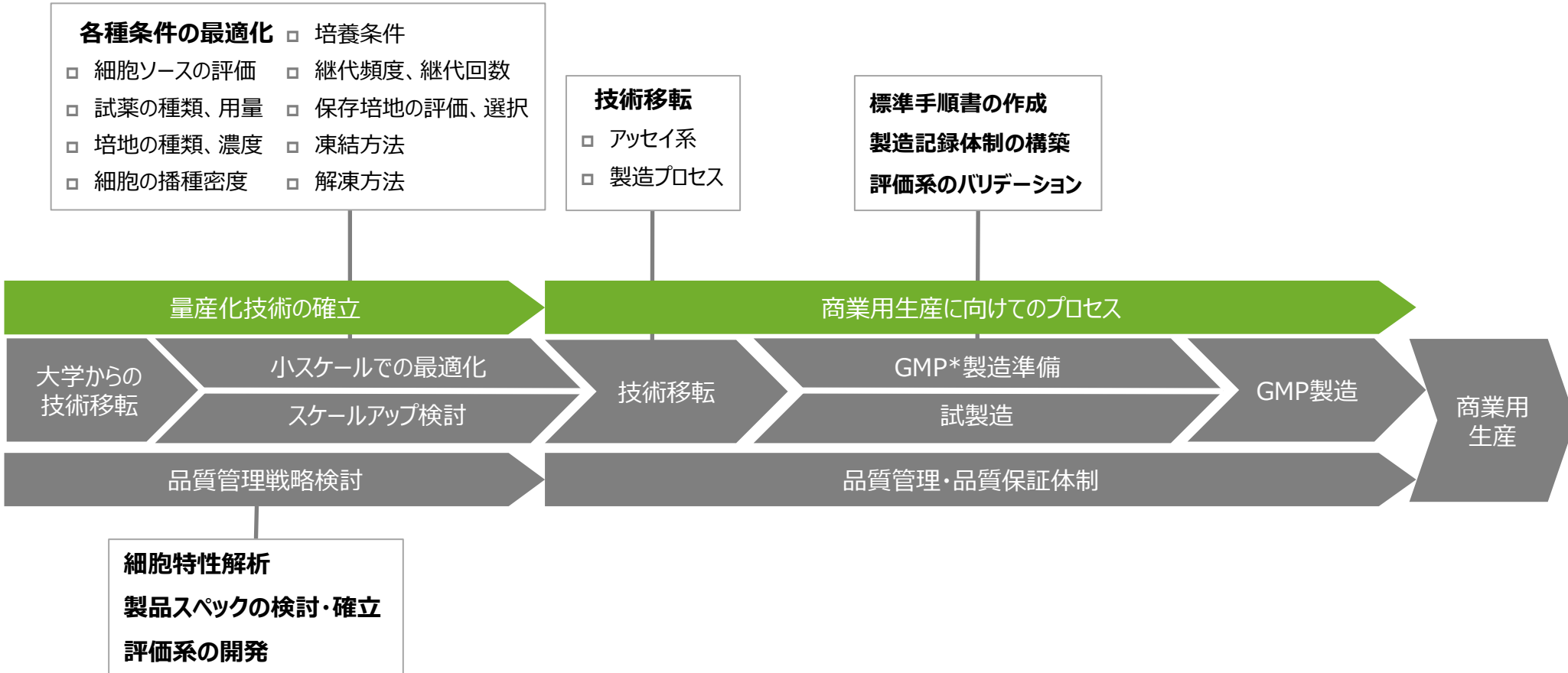
サンバイオの  
再生細胞薬

SB623国内承認申請準備中

山

死の谷

## SB623は、量産化技術の確立を経て商業用生産の準備へ



\* GMP : Good Manufacturing Practiceの略。医薬品等の製造品質管理基準。



## Ⅲ 事業概要

Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）

Point 2  有効性

Point 3  量産化技術の確立

Point 4  高い成長性

## 先行パイプラインでヒトでの安全性・有効性を確認

| 細胞薬            | 適応症           | 研究 | 非臨床 | フェーズ 1 | フェーズ 2 | フェーズ3 |
|----------------|---------------|----|-----|--------|--------|-------|
| SB623<br>慢性脳損傷 | 外傷性脳損傷        | 日本 | →   |        |        | (★1)  |
|                |               | 米国 | →   |        |        |       |
|                | 脳梗塞           | →  |     |        | (★2)   |       |
|                | 脳出血           | →  |     |        | (★2)   |       |
| SB623<br>網膜疾患  | 加齢黄斑変性 (ドライ型) | →  |     |        |        |       |
|                | 網膜色素変性        | →  |     |        |        |       |
| SB623          | パーキンソン病       | →  |     |        |        |       |
|                | 脊髄損傷          | →  |     |        |        |       |
|                | アルツハイマー病      | →  |     |        |        |       |
| SB618          | 末梢神経障害 等      | →  |     |        |        |       |
| SB308          | 筋ジストロフィー      | →  |     |        |        |       |
| MSC1           | がん疾患          | →  |     |        |        |       |
| MSC2           | 炎症性疾患         | →  |     |        |        |       |
|                | 視神経炎          | →  |     |        |        |       |

(★1) 国内外傷性脳損傷プログラムは、2019年4月に先駆け審査指定制度下において、指定を獲得しているため、優先審査等の優遇措置を活用しています。同時に、条件付き早期承認制度も活用し、早期の承認申請を目指しています。

(★2) 脳梗塞及び脳出血プログラムの臨床試験はフェーズ 2 bまたはフェーズ 3 からの開始を見込んでいます。

SB623の対象領域はアンメットメディカルニースが高い慢性期

SB623は根治治療を目指す

【既存の治療方法】

|        |     |  |  | SB623の対象領域   |
|--------|-----|--|--|--|
|        |     | 超急性期   | 急性期～回復期  | 慢性期  |
| 外傷性脳損傷 |     | <p>発症後、一定の時間内に処置しないと効果がない上、時間内に処置できたとしても治癒率は決して高くない。</p> | <ul style="list-style-type: none"> <li>行動療法</li> <li>リハビリ</li> <li>二次障害の予防</li> <li>手術</li> <li>抗浮腫療法</li> </ul> | <p>(受傷から12か月以降)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>リハビリ</li> </ul> |
|        | 脳梗塞 |  | <ul style="list-style-type: none"> <li>血栓溶解療法</li> <li>血栓回収療法</li> <li>抗浮腫療法</li> </ul>                          |  |

## SB623の対象領域はアンメットメディカルニーズが高い慢性期

SB623は根治治療を目指す

| 実施者                                   | 予定適応症         | 細胞の種類                             | 投与経路         | フェーズ  |
|---------------------------------------|---------------|-----------------------------------|--------------|-------|
| 札幌医科大学病院<br>ニプロ                       | 急性期脳梗塞        | 自家骨髄間葉系幹細胞                        | 静脈<br>(非盲検)  | 3     |
| ヘリオス株式会社                              | 急性期脳梗塞        | 他家骨髄間葉系幹細胞<br>HLCM051 (MultiStem) | 静脈<br>(盲検)   | 2 / 3 |
| 三菱ケミカル<br>ホールディングス<br>(生命科学インスティテュート) | 急性期脳梗塞        | 他家骨髄間葉系幹細胞Muse                    | 静脈<br>(非盲検)  | 2     |
| 帝人<br>JCRファーマ                         | 急性期脳梗塞        | 他家歯髄由来幹細胞<br>JTR-161              | 静脈<br>(盲検)   | 1 / 2 |
| サンバイオ株式会社                             | 慢性期<br>外傷性脳損傷 | 他家骨髄間葉系幹細胞由来の<br>加工幹細胞 SB623      | 脳内投与<br>(盲検) | 2     |

注：各社公表資料より抜粋

## SB623の対象領域はアンメットメディカルニーズが高い慢性期

SB623は根治治療を目指す

| 実施者   | 実施国                    | 予定適応症                         | 細胞の種類                          | 投与経路         | フェーズ |
|---|------------------------|-------------------------------|--------------------------------|--------------|------|
| ReNeuron Group<br>(英国)  | 英国<br>※Ph2bを米国で実施予定    | 慢性期脳梗塞<br>(2~12 months)       | 胎児由来神経幹細胞<br>(他家細胞)            | 脳内投与<br>(盲検) | 2    |
| Stemedica cell technologies Inc<br>(米国)   | 米国                     | 慢性期脳梗塞<br>(6 months~)         | 骨髄間葉系幹細胞<br>(他家細胞)             | 静脈<br>(非盲検)  | 1/2  |
| サンバイオ株式会社<br>(日本)   | 米国                     | 慢性期脳梗塞<br>(6~90 months)       | 骨髄間葉系幹細胞由来の<br>加工幹細胞<br>(他家細胞) | 脳内投与<br>(盲検) | 2 b  |
| サンバイオ株式会社<br>(日本)   | 日本・米国                  | 慢性期<br>外傷性脳損傷<br>(12 months~) | 骨髄間葉系幹細胞由来の<br>加工幹細胞<br>(他家細胞) | 脳内投与<br>(盲検) | 2    |
| Athersys, Inc<br>(米国)   | 米国・欧州<br>※日本はヘリオス社が開発中 | 急性期脳梗塞                        | 体性幹細胞<br>(他家細胞)                | 静脈<br>(盲検)   | 3    |
| The University of Texas Health<br>Science Center<br>Fortress Biotech/Cellvation<br>(米国) | 米国                     | 急性期<br>外傷性脳損傷                 | 骨髄単核細胞<br>(自家細胞)               | 静脈<br>(盲検)   | 2    |
| Athersys, Inc/UTHealth<br>(米国)  | 米国                     | 急性期<br>外傷性脳損傷                 | 体性幹細胞<br>(他家細胞)                | 静脈<br>(盲検)   | 2    |

注：各社公表資料より抜粋

適応疾患×地域に成長余地を保持

SB623の今後の展開

|      |               |                 |    |               |   |  |
|------|---------------|-----------------|----|---------------|---|--|
| 適応疾患 | アルツハイマー病      | ↑               |    |               |   |  |
|      | 脊髄損傷          |                 |    |               |   |  |
|      | パーキンソン病       |                 |    |               |   |  |
|      | 網膜色素変性        |                 |    |               |   |  |
|      | 加齢黄斑変性 (ドライ型) |                 |    |               |   |  |
|      | 脳出血 (慢性期)     |                 |    |               |   |  |
|      | 脳梗塞 (慢性期)     |                 |    | フェーズ2b        |   |  |
|      | 外傷性脳損傷 (慢性期)  | フェーズ2<br>→申請準備中 |    | フェーズ2         | → |  |
|      | 日本            | 米国              | 欧州 | アジア<br>オセアニア他 |   |  |

## グローバル展開を視野に、まずは国内での開発・承認・販売を優先

### 現時点

■ 国内において、SB623慢性期外傷性脳損傷プログラムの承認申請・承認・自社販売を目指す(注1,2)。



■ 国内において、SB623脳梗塞プログラム及び脳出血プログラムの臨床開発を目指す。



■ 地域展開として、SB623慢性期外傷性脳損傷プログラム、慢性期脳梗塞プログラム及び脳出血プログラムの欧米・アジアなどの地域展開を図る。

(注1) 当社グループは、当局からこの承認申請の許可を得ること、そして一日も早く承認申請についてのお知らせができるように全力を傾けていますが、現時点から承認申請が許可され、次に承認が認められるまでの期間は、当局との協議内容等について、当社グループにおける技術的な極秘事項等も含まれること等から、機微な取り扱いが求められます。そのため、当局との協議の内容及びその状況については、承認申請時期の予定等も含めて開示を控えています。

(注2) 2022年1月期は、これらに向けた費用を主に、合計で5,786百万円の事業費用を見込んでいます。

## SB623製造販売承認後を見据えた準備

今後、承認要件（市販後調査、適正使用推進など）が決定次第、販売体制や詳細を詰めていく作業になります。  
 現在、パートナー企業や自治体と連携し、外傷性脳損傷患者さんに早期に貢献できる準備を進めています。

|             | 現状   |
|-------------|--|
| 薬価          | 適正薬価の算出を目指した提出資料の準備  |
| 診療報酬        | 脳神経外科学会 保険委員会への対応  |
| 販売体制の構築     | 治療実態の明確化、治療フェーズ毎の医師、患者の考え方に基づく戦略立案<br>術前・術後の患者フォローを軸とした、地域ごとの活動の戦略策定             |
| 流通体制の構築     | スズケンとのR-SATシステムの実装準備<br>各地域における流通スキーム確立へ向けた活動                                    |
| 情報提供資料の作成   | 製品戦略に基づいた情報提供資料、動画コンテンツの準備<br>製品用Websiteコンテンツの準備                                 |
| 適正使用推進体制の構築 | 適正使用のために必要なサイエンスインサイトの収集<br>ICTを活用した適格性判定システムの構築準備<br>市販後適性使用に必要なe-ラーニングコンテンツの準備 |







## 成長戦略を阻害する主なリスクとその対応策

| 主なリスク  | 対応策   |
|--|---|
| <p><u>再生細胞薬という新薬開発の不確実性</u></p> <p>臨床試験で有用な効果が発見できなかり、製造プロセスの確立が予定通り進行せず、開発等の中止や延期になった場合には、事業モデルや資金面での見直しなど、成長戦略を阻害する大きな要因となります。</p> | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 複数のパイプライン・インディケーションをバックアップにもつ。</li> <li>• 日本の早期承認制度のような制度を利用するなど開発期間の短縮や開発コストの低減ができる戦略により開発等を進める。</li> </ul> |

※上記以外のリスクについては、直近の関東財務局に提出している有価証券報告書「第1部 企業情報 第2 事業状況 2 事業等のリスク」をご参照ください。

## Ⅲ 事業概要 まとめ

- Point 1  スケーラブルな再生医療（再生細胞薬）
- Point 2  有効性
- Point 3  量産化技術の確立
- Point 4  高い成長性

※ 次の本開示は、2022年4月を予定しています。