

がんワクチンの 薬事承認への取り組みと 成長戦略

テラ株式会社



会社概要

1

外科医としての臨床経験

2

バイオベンチャーにおける事業経験

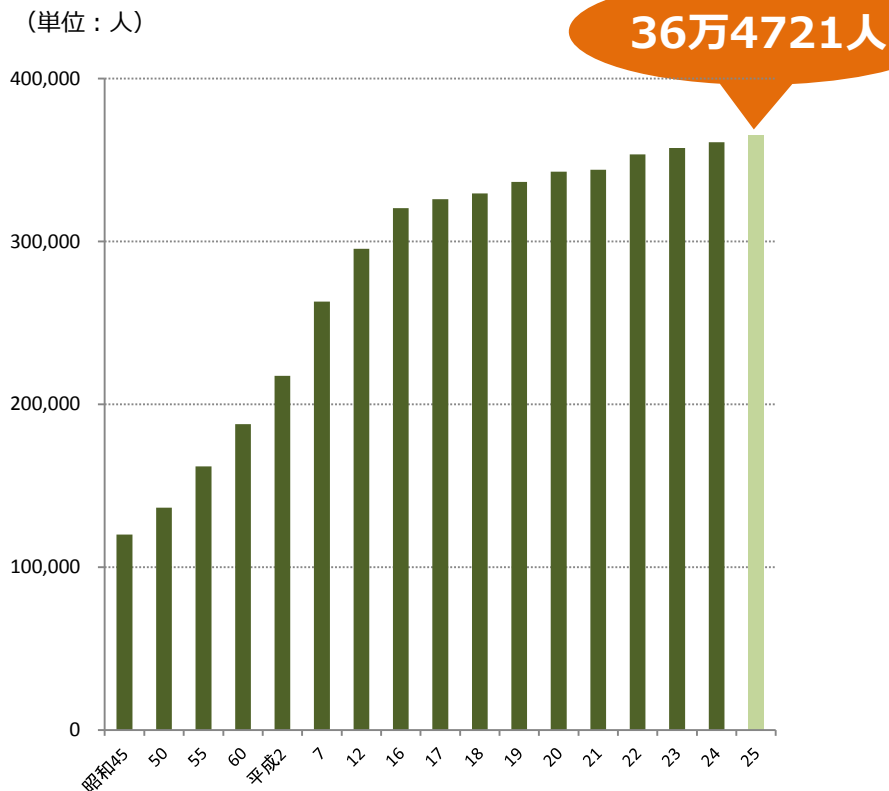
3

大学研究所での研究開発経験



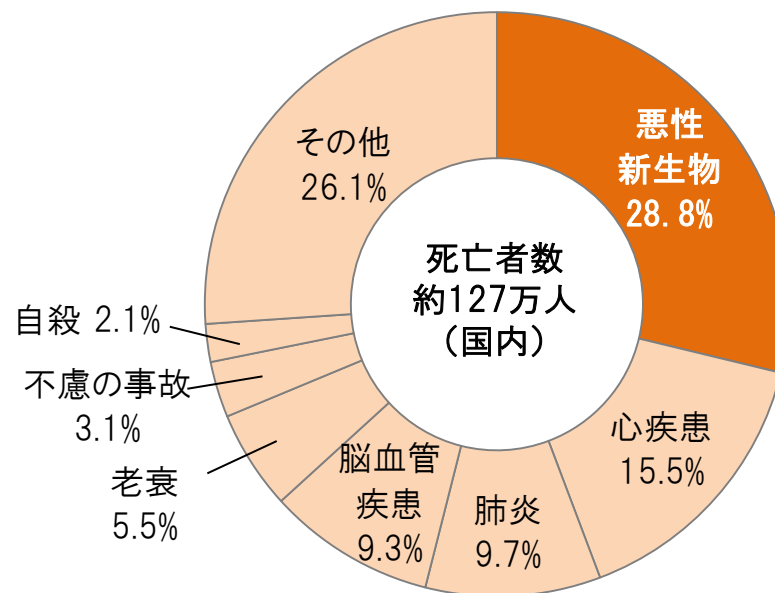
がんは2人に1人が罹患(生涯罹患リスク)し、3人に1人が亡くなる病気と言われており、今後も増加する傾向と予想されています。

がんによる死亡者数推移



出所：2013年人口動態統計月報年計の概況（厚生労働省）

死因別死亡数の割合（2013年）



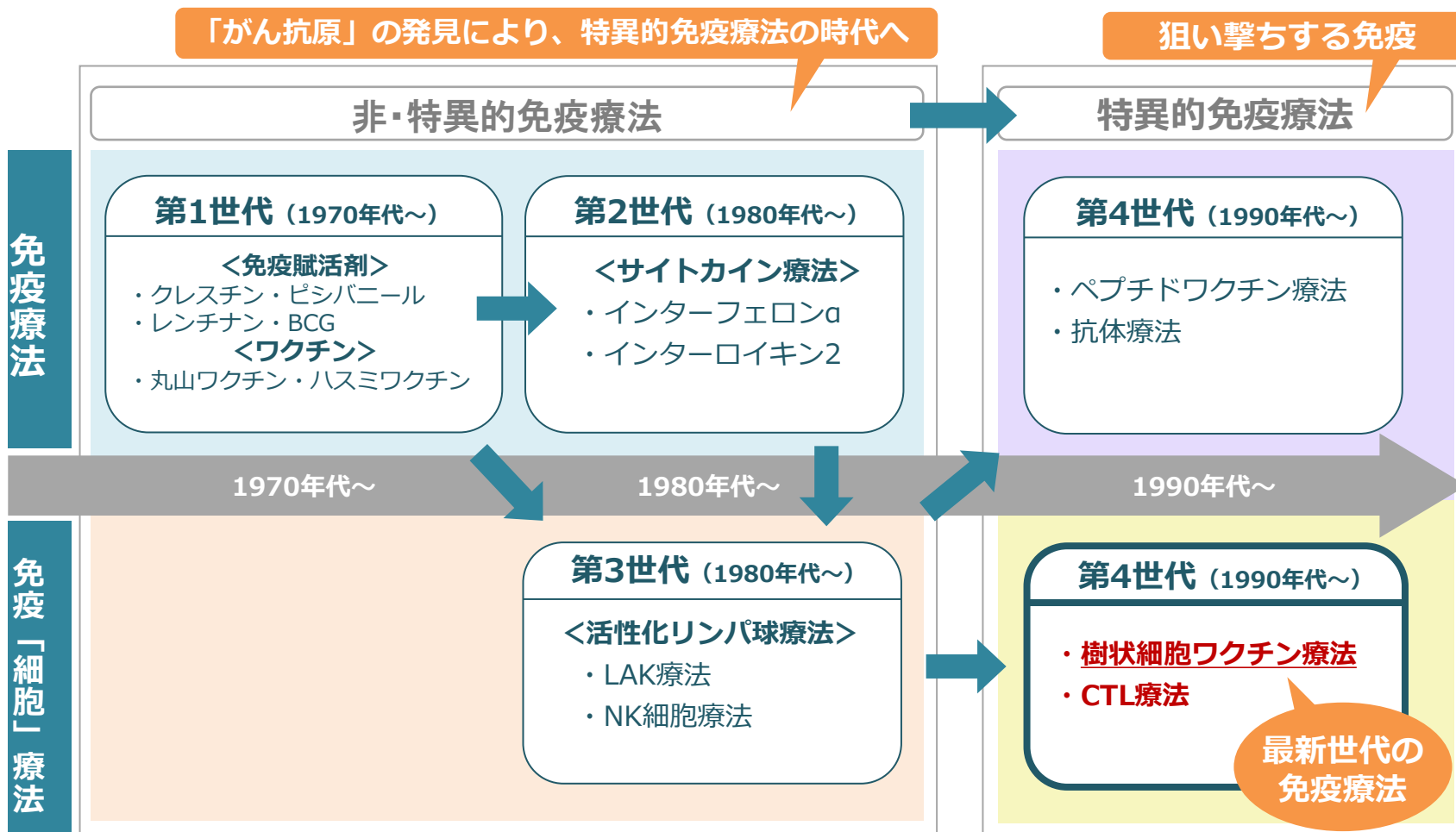
標準治療

- 1 外科（手術）療法
- 2 化学（抗がん剤）療法
- 3 放射線療法

免疫を最大化するがん治療の組み合わせ
アイマックスがん治療

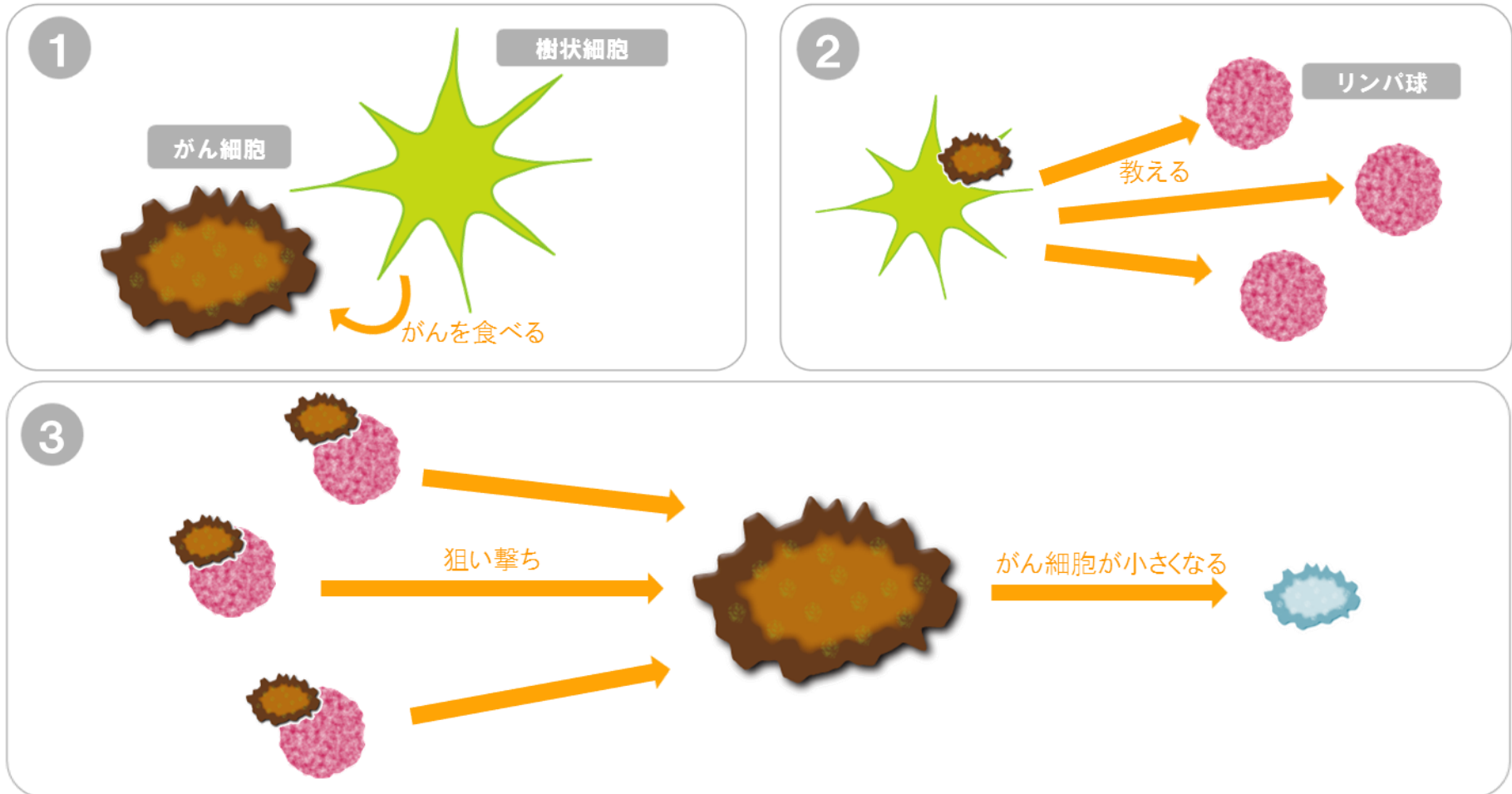


がんワクチン療法の一つである樹状細胞ワクチン療法は、最新世代の免疫療法の一つです。



引用：がんサポート（一部内容を改編）

樹状細胞はがんを取り込み、その特徴を体の中のリンパ球という免疫細胞に教えることで、そのリンパ球にがんだけを狙って攻撃させる細胞です。



提携医療機関において、通院にて治療を行います。
1セットは約3～4ヶ月、治療費は約200万円です。

1時間

10日
(検査結果)

2～3時間

約3週間

1時間

医療相談
+ 検査

成分採血

細胞培養

投与

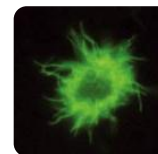


外来を受診いただき、**樹状細胞ワクチン療法**の説明を受け、適応となるか**検査**をしていただきます。

2～3時間かけて
血液からワクチンに必要な成分を取り出します。

約3週間の**培養作業**を経て**樹状細胞ワクチン**を作製します。

樹状細胞→



2週間おきに1本のワクチンを外来で投与します。
約7回の通院で治療は完了します。

当社独自の樹状細胞ワクチンを「バクセル®」と名付けました。

名前の由来

vaccine
ワクチン

+

cell
細胞



 **Vaccell®** がん バクセル
The dendritic cell vaccine from Tella

再生医療等製品として
樹状細胞ワクチン「バクセル®」の承認取得を目指します。

バクセル®の特徴

がんワクチンとして
最適化された技術

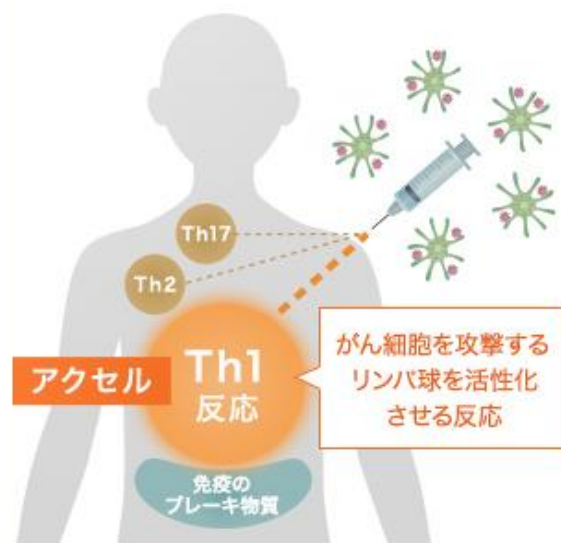
個別化医療
(パーソナライズド・メディシン)

エビデンス(科学的根拠)
の強化

保険適用を目指す
医療技術

「バクセル®」は、免疫の働きを強める「Th1反応」を強力に誘導できる強化型のワクチン

樹状細胞ワクチン「バクセル®」の場合

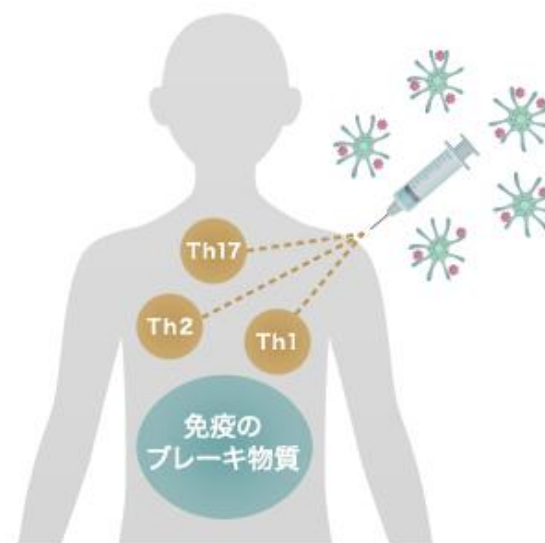


直接“アクセセル”の反応を引き出す

アクセセル >> ブレーキ

がんへの攻撃力が強い

一般的な樹状細胞ワクチンの場合



効果的に“アクセセル”の反応が起きているのか？

当社は、契約医療機関から樹状細胞ワクチン「バクセル®」の治療数に応じて技術・ノウハウ料等を頂いています。

当 社

契約医療機関

患 者



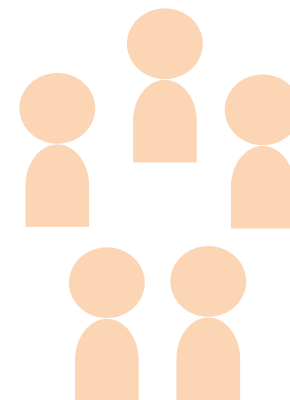
- ・治療技術等ノウハウの提供
- ・細胞培養施設の貸与
- ・独占実施権の許諾等



- ・技術ノウハウ料
- ・細胞培養施設使用料
- ・特許使用料
(セット数に応じて)

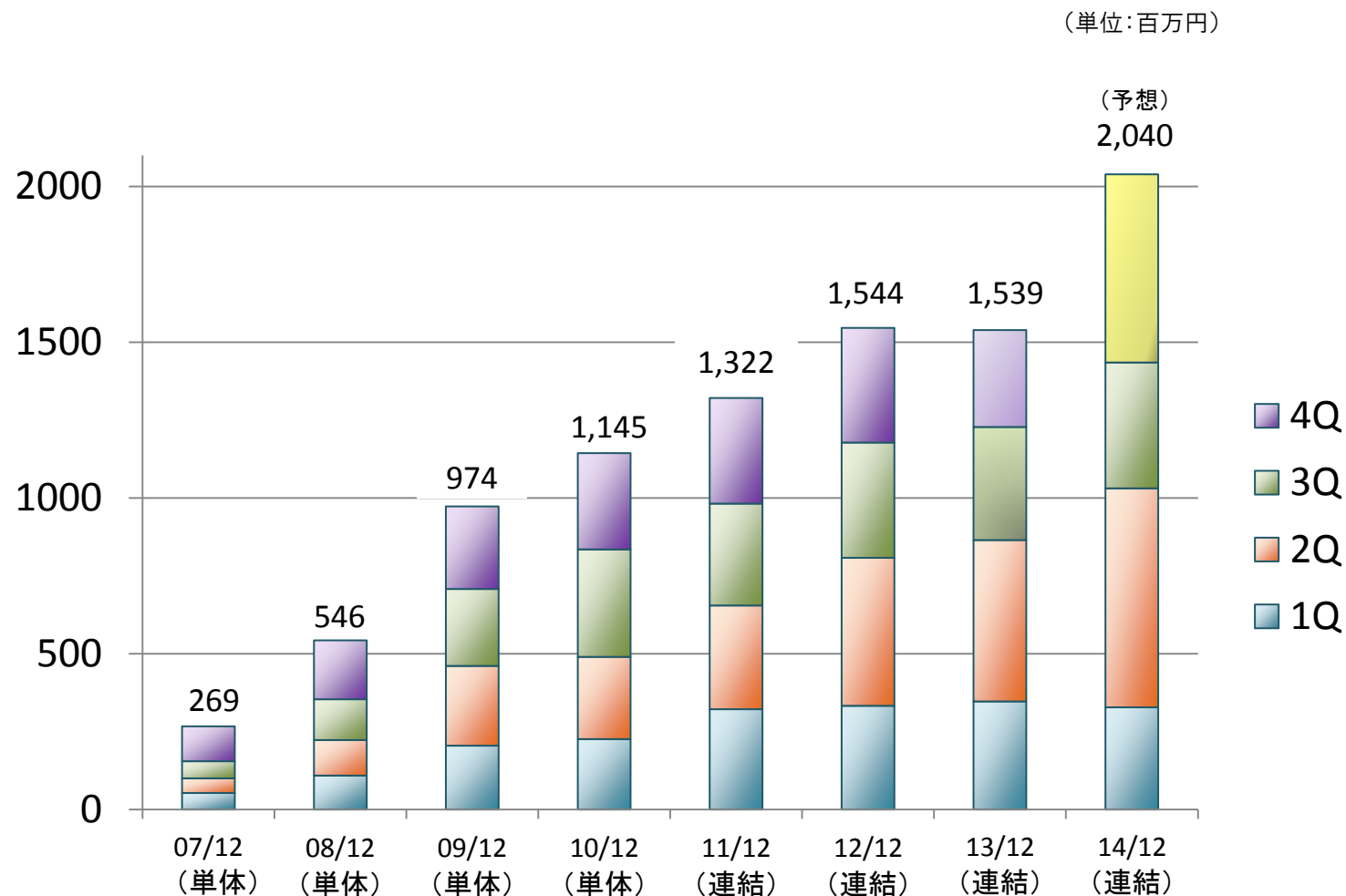


樹状細胞ワクチン療法



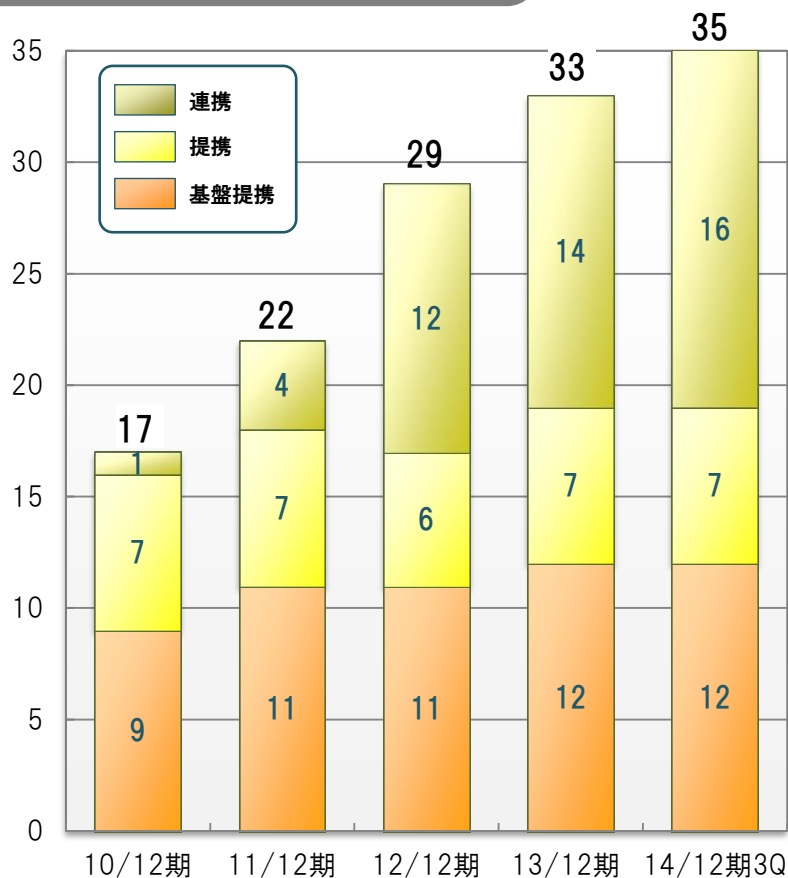
治療費



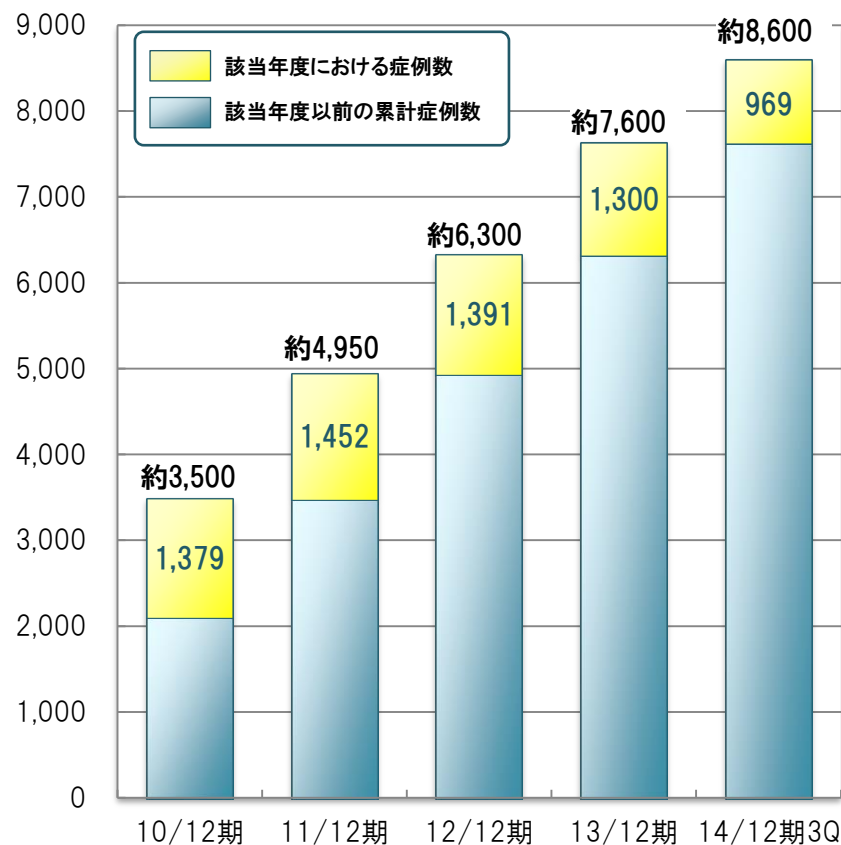


契約医療機関は全国に35ヶ所、累計症例数は約8,600症例に（2014年9月末時点）

契約医療機関数推移



累計症例数



1 世界で認められたがん抗原「WT1ペプチド」

- WT1ペプチドの**独占実施権を保有**
- 「改変型」を使用することで、**より強力ながん免疫を誘導することが可能**
- 他がん抗原の独占実施権も保有：「MAGE-A4ペプチド」「サーバイビンペプチド」

2 東大医科研究の「細胞培養技術」

- 東京大学医科学研究所発の**高品質で安定的な細胞を培養する技術を保有**
- 細胞培養施設の**保有・導入支援実績国内トップ** 保有・導入支援件数 **19件**

3 世界トップクラスの「臨床実績」

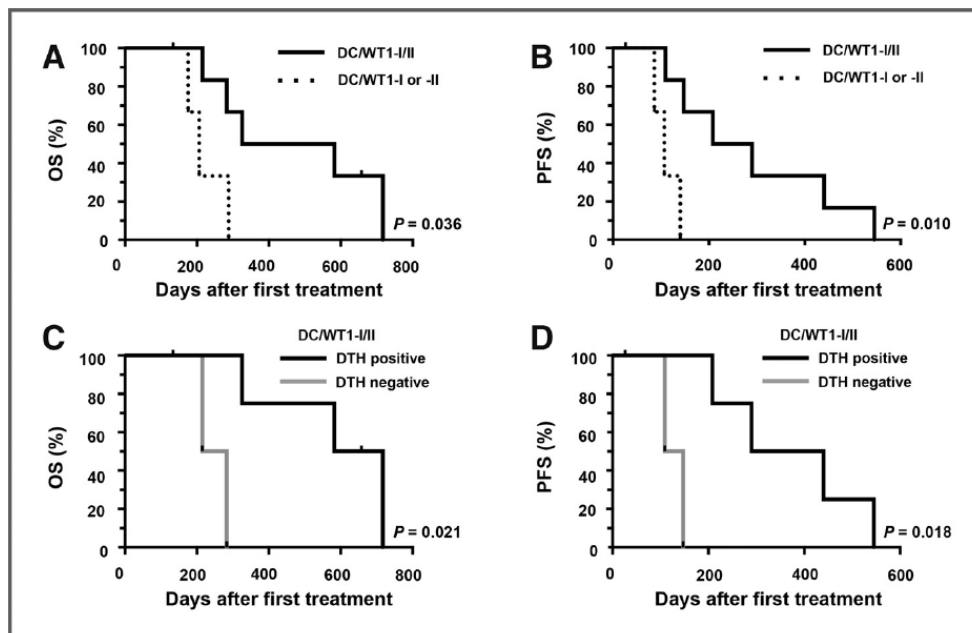
- 契約医療機関における樹状細胞ワクチン「バクセル®」累計症例数 **約8,600症例**
(2014年9月末現在)

樹状細胞ワクチン「バクセル®」におけるエビデンス構築を強化し、再生医療等製品としての薬事承認に向けた取り組みを推進

テラ株式会社 契約医療機関及び共同研究先における論文掲載実績

がん種	掲載年月	掲載誌名	症例数	発表者	論文の内容	ポイント
膵がん	14年7月 NEW	『Clinical Cancer Research』	n=11	東京慈恵会医科大学 小井戸薫雄医師 他	進行膵がんに対するWT1クラス I 及びクラス II ペプチドを用いたバクセルの安全性及び有効性の評価	■前向き臨床研究 ■WT1クラス I 及びクラス II の併用が全生存期間延長に寄与
	14年4月 NEW	『Cancer Immunology, Immunotherapy』	n=255	セレンクリニック 名古屋 小林正学医師 他	化学療法を併用した切除不能な膵がん患者に対する樹状細胞ワクチン療法の上乗せ延命効果: 多施設共同研究	■膵がん患者の全生存期間延長に寄与 (MST=16.5ヶ月)
	11年7月	『Pancreas』	n=49	テラ株式会社 研究開発部 木村幸乃 他	進行膵がんに対する抗がん剤を併用した同療法に関する臨床成績および免疫学的解析結果について	■膵がんの制御率 (CR+PR+SD)=34.7%
肺がん	12年12月	『European Journal of Cancer』	n=62	セレンクリニック 東京 高橋秀徳医師 他	進行性非小細胞肺がんに対するWT1を用いた樹状細胞ワクチン療法の有用性と予後因子の検討	■肺がんの制御率 (CR+PR+SD)=50% ■WT1ペプチドの使用症例は、未使用症例に比べて有意に全生存期間延長
卵巣がん	14年5月 NEW	『Journal of Ovarian Research』	n=56	セレンクリニック 名古屋 小林正学医師 他	再発卵巣がんに対する樹状細胞がんワクチン療法の臨床効果とフィージビリティスタディ	■がん抗原に対して効果的に免疫を誘導できる
胆道がん	13年7月	『Journal of Gastrointestinal Surgery』	n=65	セレンクリニック 名古屋 小林正学医師 他	切除不能な進行・再発胆道がんに対する樹状細胞ワクチン療法の有用性と予後因子の検討	■胆道がん患者の全生存期間延長に影響を及ぼす可能性

膀胱がんの前向き臨床研究の結果が米国がん学会（AACR）の学会誌に掲載
WT1クラス I 及びクラス II ペプチドを用いたバクセルは、
がん細胞に対してWT1特異的免疫反応を誘導（2014年7月）



WT1クラス I ペプチド
+
WT1クラス II ペプチド
→ 単独の場合と比べて
全生存期間が延長

→ DTH反応（遅延型アレルギー反応）
を示す症例はDTH反応を示さない
症例に比べて
生存期間中央値が延長
（特に強いDTH反応を示した3例の
MST: 717日）

■ 前向き臨床研究

■ 抗がん剤を併用したWT1クラス I 及びクラス II ペプチドを用いた樹状細胞ワクチン「バクセル®」11症例の安全性と有効性の評価

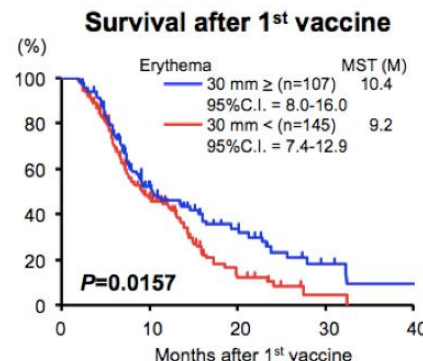
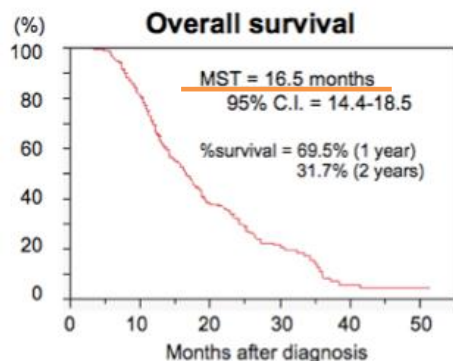
■ 米国がん学会（AACR）の学会誌「Clinical Cancer Research」に掲載（Impact factor 2013: 8.193）

腫がんの臨床成績が免疫分野の専門学術誌に掲載 進行腫がん患者の全生存期間の延長に寄与（2014年4月）

バクセル255症例の解析結果 MST: 16.5ヶ月

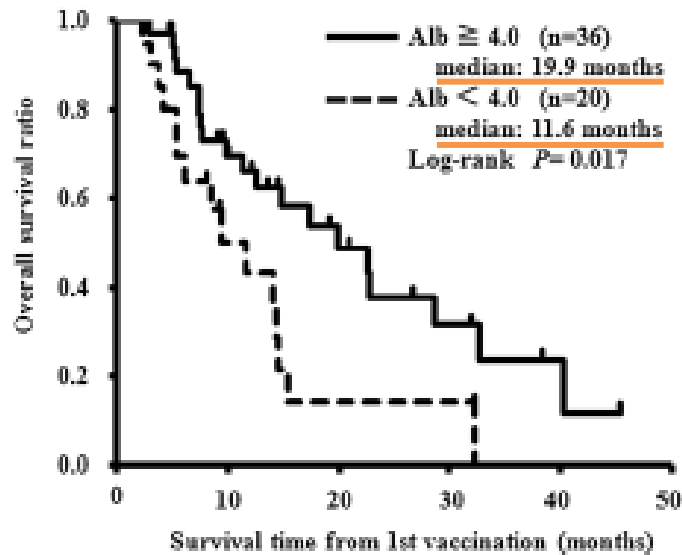
- ・抗がん剤と併用 ・腫がんと診断された日より
- ・標準治療における最新のエビデンス MST: GEM単独=8.8ヶ月、TS-1単独=9.7ヶ月
(J Clin Oncol 31:1640, 2013.)

がんワクチンが有効性を示す際の典型的な「delayed separation pattern (ワクチンによる遅延反応)」を示す



- 抗がん剤にWT1ペプチド及びMUC1を用いた樹状細胞ワクチン「バクセル®」を併用した255症例の安全性と有用性の検証と、全生存期間延長に関係する因子の特定
- 全生存期間延長の関与因子は樹状細胞ワクチン投与部位の発赤反応であることを特定。解析結果から、良好な栄養状態を維持すること等が重要であることを示唆した
- がん免疫分野の専門学術誌「Cancer Immunology, Immunotherapy」に掲載

卵巣がんの臨床成績が専門誌に掲載 がん抗原に対して効果的に免疫を誘導することが可能 (2014年5月)



WT1ペプチドを用いた17症例

→**71%**において免疫応答が確認

アルブミン値が4.0g/dl以上の症例

→4.0g/dl以下の症例と比べて

全生存期間が約8ヶ月延長

■再発卵巣がん56症例の解析

■ワクチンを投与する際、良好な栄養状態を維持することが全生存期間延長に重要である可能性がある

■卵巣がんの専門学術誌「Journal of Ovarian Research」に掲載

成長戦略

再生医療・細胞治療において、市場規模の拡大が期待されています。

再生医療

市場規模予測

再生医療周辺産業

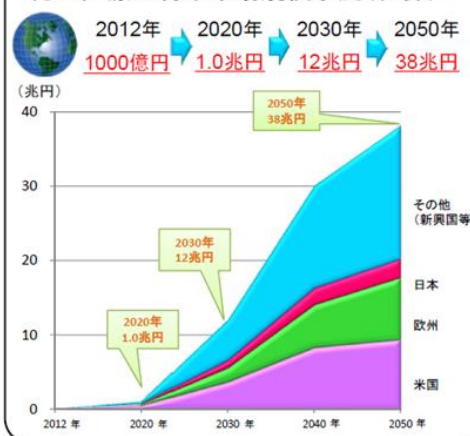
国内

再生医療の将来市場規模予測(国内)

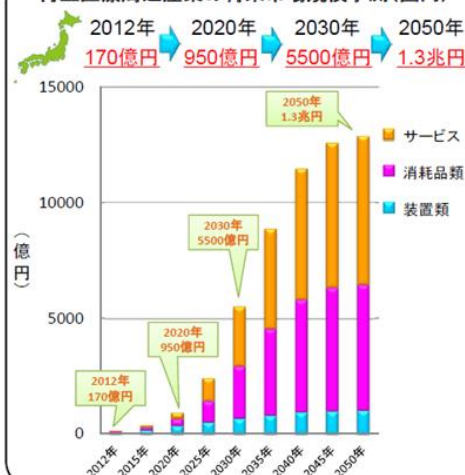


世界

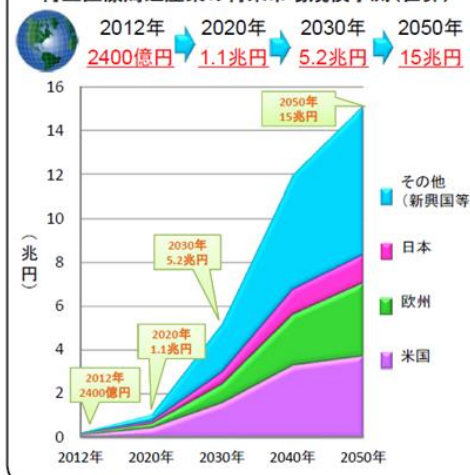
再生医療の将来市場規模予測(世界)



再生医療周辺産業の将来市場規模予測(国内)



再生医療周辺産業の将来市場規模予測(世界)



2020年における
市場規模予測

国内：1900億円

世界：2.1兆円

出所：経済産業省「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」より抜粋

2013年4月成立

『再生医療推進法』

再生医療を国民が迅速かつ安全に受けるための総合的な施策の推進に関する法律

2013年11月成立

『薬事法等の一部を改正する法律』

医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供の確保を図るための所要の措置を講ずるための法律

『再生医療等の安全性の確保等に関する法律』

再生医療等の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定めた新たな法律

2014年11月25日 施行予定

2020年に売上高150億円を目指す



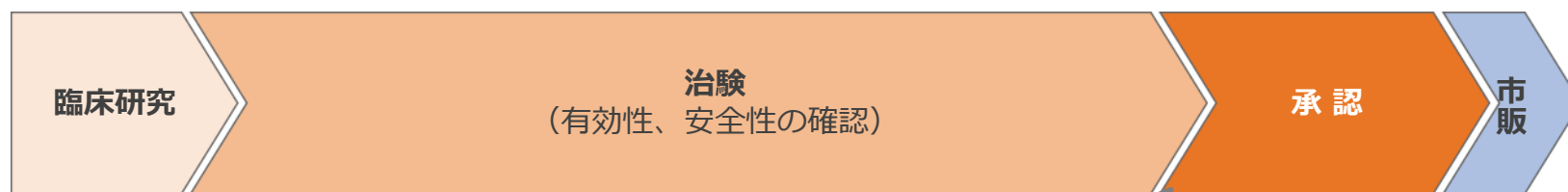
日本初の再生医療等製品として条件付（早期）承認制度を活用した
樹状細胞ワクチン「バクセル®」の承認取得を目指す。

2015年内の治験届提出を目指す

【従来の承認までの道筋】

＜再生医療製品に従来の承認制度を適用する場合の問題点＞

人の細胞を用いることから、個人差を反映して品質が不均一となるため、有効性を確認するためのデータの収集・評価に長時間を要する。



出所：厚生労働省「厚生労働省における再生医療に関する最近の取り組みについて」より抜粋

【再生医療等製品としての承認に向けた道筋】

承認までの時間が大幅に短縮
開発コストを大幅に縮小

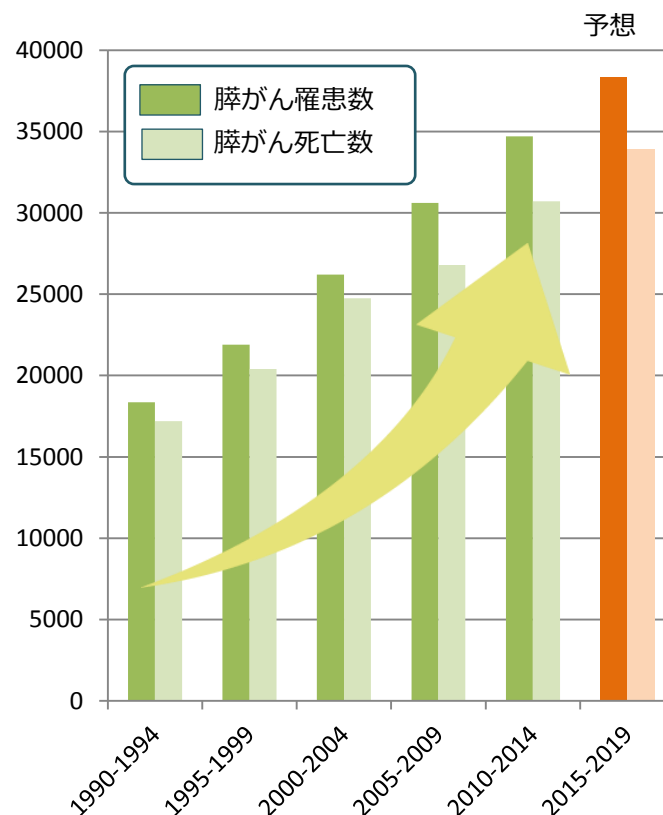


当社の強みを活かし、「膀胱がん」における開発を行う。

強み

1. 新しい**大量増幅培養技術**
(特許出願中)
2. **マルチペプチド**を使用
(独占実施権を保有)
WT1class I 改変ペプチド
+
ヘルパーペプチド (WT1class II)
3. 高い確率で有効性が期待できる
疾患を選別するための
エビデンスを構築

膀胱がん患者の推移



出所:『がん・統計白書2012』より

1. 新規医療機関の開拓推進・細胞加工業の事業化

- 新規医療機関を拡大し治療を受けやすくすることで、症例数増加を目指す。
- 「再生医療等の安全性の確保等に関する法律案」の動向を見極めつつ、細胞加工業の事業化の検討を行う。

2. 認知拡大に向けたブランディングの推進

- 患者・医療従事者に向けたマーケティング活動を積極的に行い、樹状細胞ワクチン「バクセル®」及び新規免疫療法である「ZNK®細胞免疫療法」の認知拡大を行う。

3. 新規がん抗原の実用化

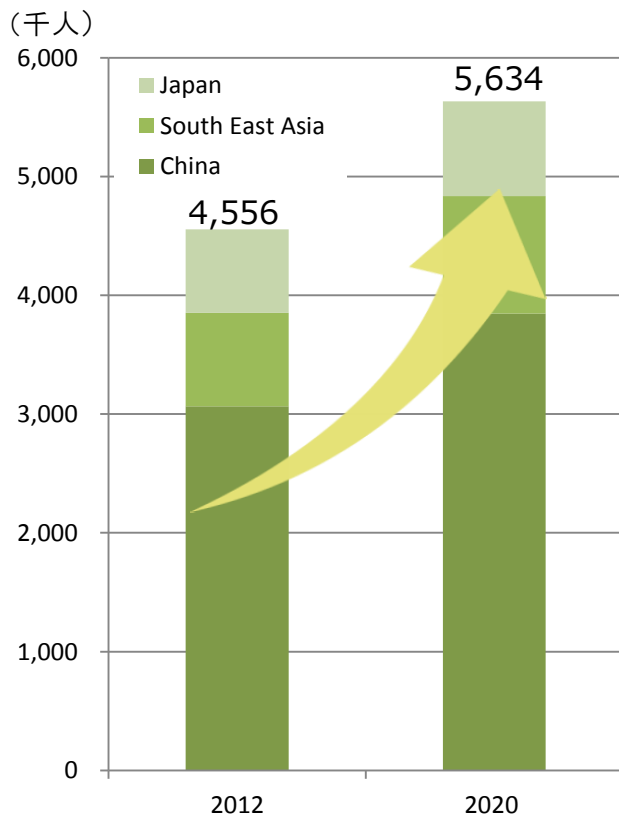
- 東京慈恵会医科大学におけるWT1クラスⅡペプチドを用いた第Ⅰ相臨床研究の解析を継続する。
- その他新規がん抗原(サーバイビン、MAGE-A4、GPC3、AFP、MAGE1等)の実用化に向けた検討を行う。

4. ZNK®細胞免疫療法の実用化

- 長崎大学病院における第Ⅰ相臨床試験を継続する。

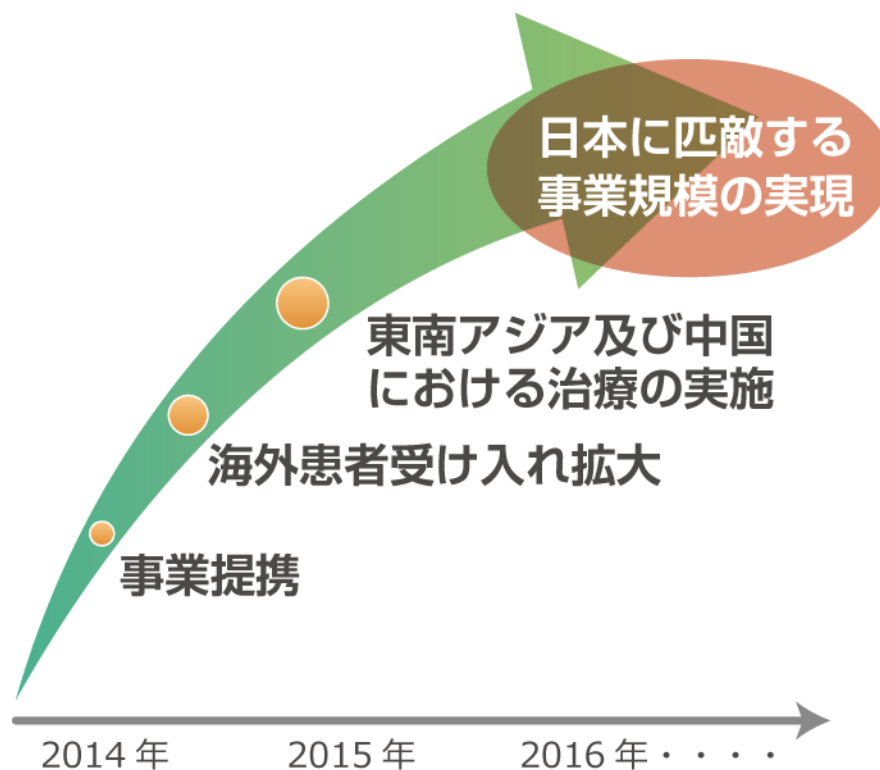
東南アジア及び中国における事業提携を実現し、海外患者の受け入れ拡大及び
現地での樹状細胞ワクチン「バクセル®」の実施を目指す。

アジアにおける がん患者数の増加予測



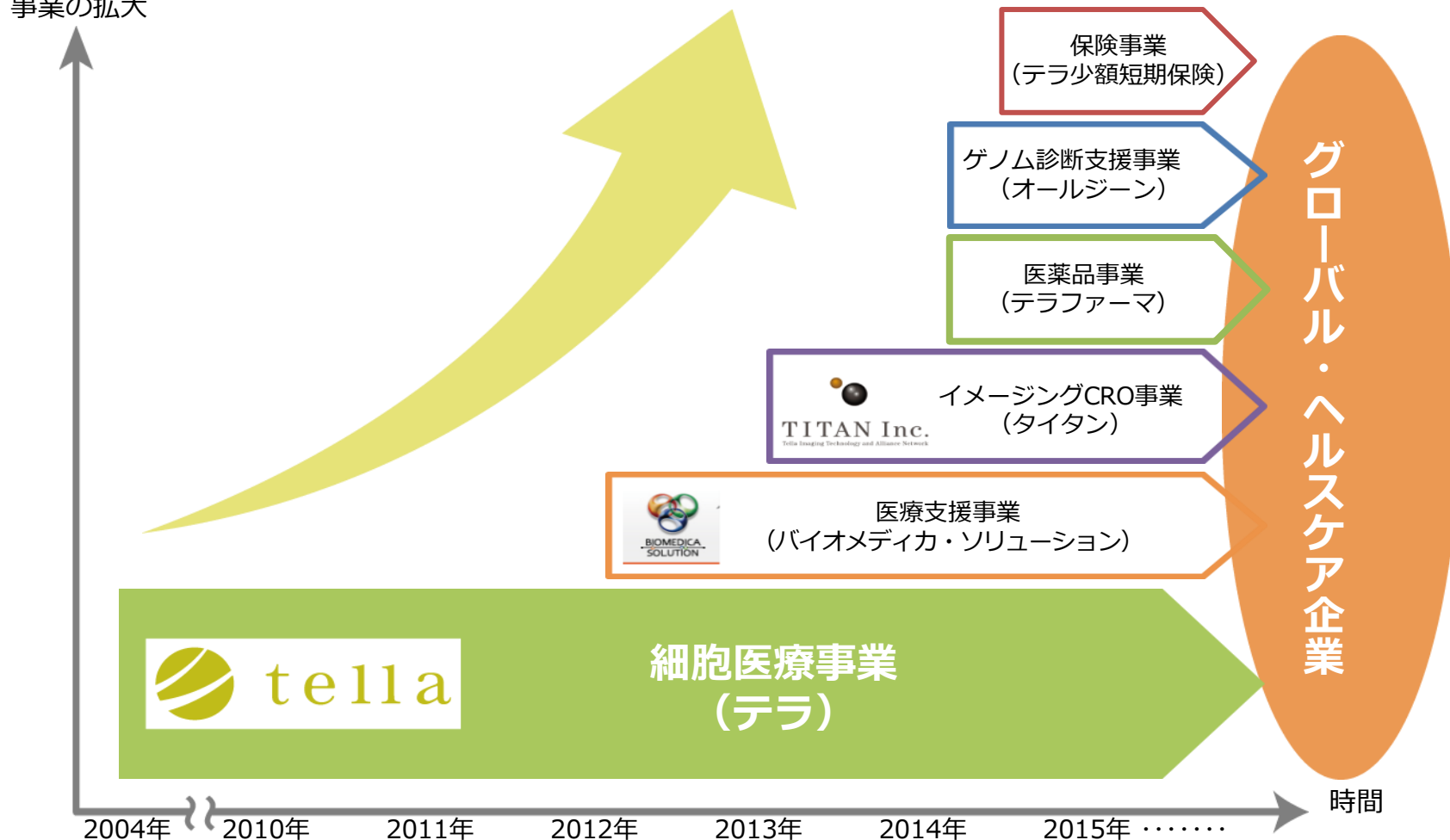
出所 : Globocan 2012

アジア展開の道筋



細胞医療事業を基盤とし、先端医療周辺事業の拡大を目指す。

事業の拡大





がんワクチンの 薬事承認への取り組みと 成長戦略

テラ株式会社

