

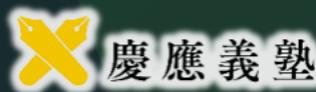
眼科領域における 世界のイノベーションの潮流と課題

令和6年4月4日（木）15：30～17：30

第10回 再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会資料

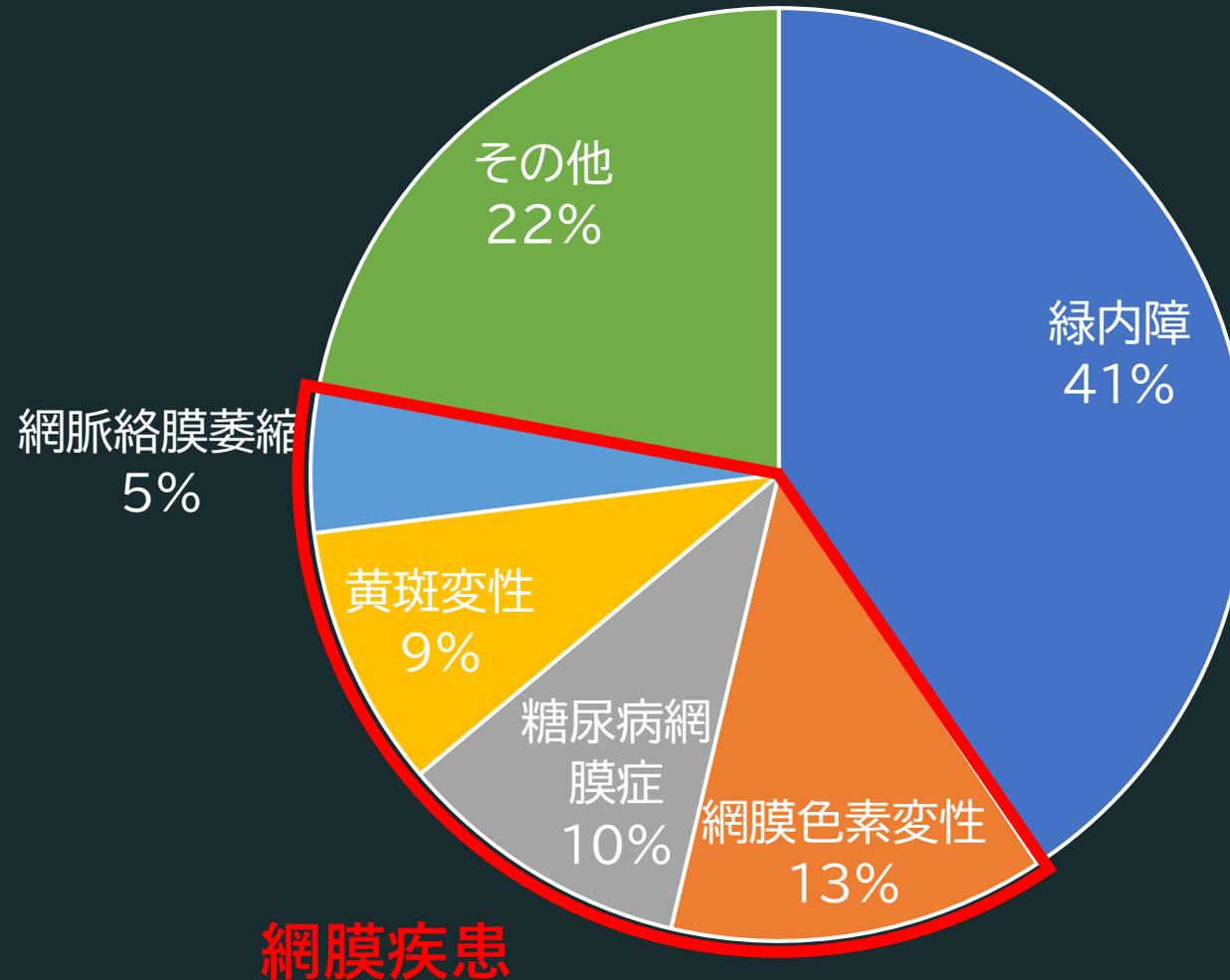
株式会社レストアビジョン

代表取締役CEO/CSO 堅田侑作



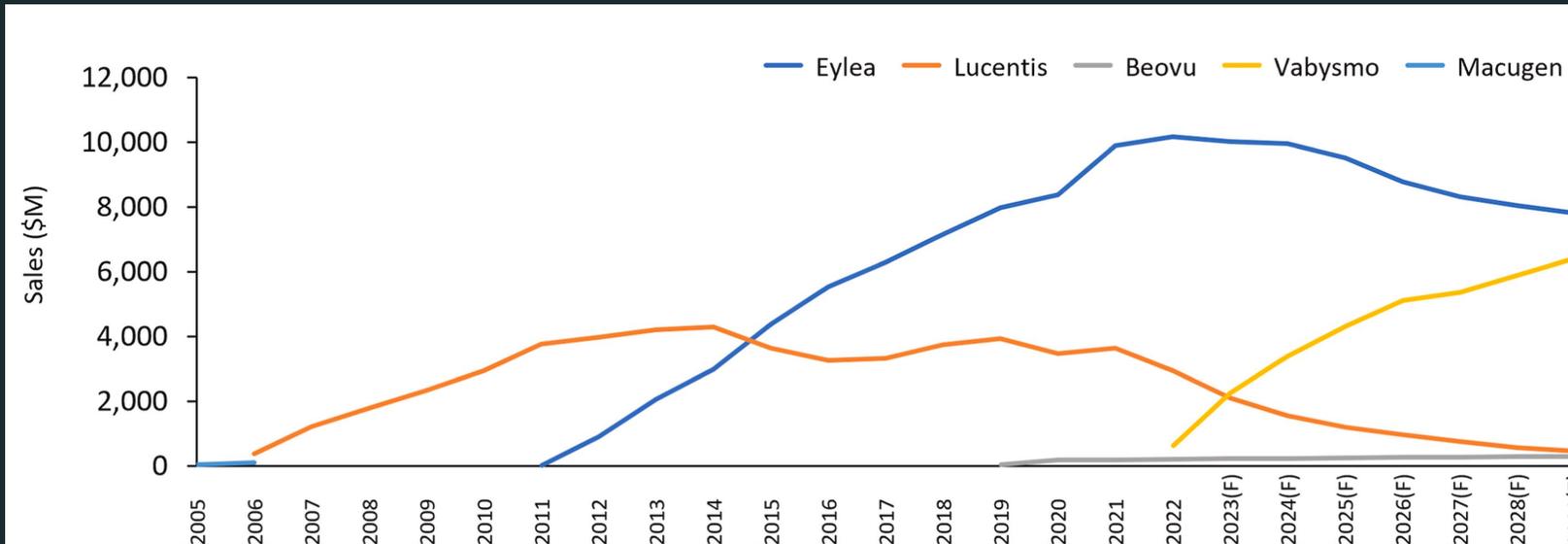
視覚障害の原因疾患

難治性疾患として網膜疾患が大きな割合を占める



抗VEGF薬から始まった網膜製薬領域のイノベーション

- 2004年 FDAがRNAアプタマーPegatanib (Macugen) を承認
 - 2006年 FDAが抗体医薬品Ranibizumab (Lucentis) を承認
 - 2011年 FDAが抗体医薬品Aflibercept (Eylea) を承認
 - 加齢黄斑変性→様々な網膜疾患に適応拡大 その他合計7剤がFDA承認
- 日本の眼科総医療費約1兆円のうち約10%が抗VEGF薬の薬剤費に



承認された抗 VEGF 治療薬の年間売上高と予測

社会診療医療行為統計
製薬各社HP財務資料

Hristodorov D et al. Prog
Retin Eye Res. 2024

抗体医薬開発のヒトモノカネが 遺伝子治療開発へ移行

- エコシステムが形成され、眼科の大きな国際学会に付随して産学官・患者会が連携したカンファレンスが組成
 - 当該分野の医薬品開発のステークホルダーが集結
 - 学会よりもハイレベルな発表・議論
- エコシステムの中核を担う患者会
 - 遺伝性網膜疾患の患者会のマネジメント層が抗体等医薬品開発の専門家集団
 - 患者会が遺伝子検査を無料提供しレジストリを組成
 - 医薬品開発のための臨床試験を実施
 - ベンチャーファンド・ベンチャーを設立
 - 基礎から新薬開発をシームレスに支援

網膜領域への投資状況

- この20年で投資数は3倍、投資総額は6倍(約14億ドル)へ
- VCからの平均資金調達ラウンドサイズは約6,000万ドル
- 弊社同ステージの競合企業は約150億円を調達

Summary of the 15 largest financings of retinal therapeutics companies since 2004

US and European private companies, with at least one retinal pipeline program, have been considered. The table has been sorted by round size.

Company	Year	Financing round	Round size in \$ million	Target/Pathway	Modality
Frontera	2022	Series B	160	undisclosed	AAV gene therapy
Unity	2017	Series B	151	Bcl-xL/Tie2/VEGF Inhibition	Antibody/Small molecule
Alkeus	2023	Series B	150	Visual cycle modulator	Small molecule
Gyroscope	2021	Series C	148	Fl/complement	AAV gene therapy
Unity	2016	Series C	116	Bcl-xL/Tie2/VEGF Inhibition	Antibody/Small molecule
Ray Therapeutics	2023	Series A	100	Optogenetics	AAV gene therapy
Annexon	2020	Series C	100	C1q/complement	Antibody
4DMT	2018	Series B	90	Multiple	AAV gene therapy
Iveric	2013	Series C	83	C5/complement	Aptamer
Life	2022	Series C	82	Epigenetic reprogramming and autophagy	AAV gene therapy
Complement Tx	2023	Series A	79	CR1/complement	AAV gene therapy
Perceive	2023	Series B	78	Undisclosed/complement	AAV gene therapy
Vedere Bio II	2021	Series A	77	Optogenetics	AAV gene therapy
Sparing Vision	2022	Series B	76	Cone function and protection	AAV gene therapy/gene editing
Intergalactic	2021	Series A	75	Abca4 correction	Non-viral gene therapy

現状と課題

- **基礎・応用研究側の課題**
 - 創薬を見据えた知財創出の欠如
 - 国内に産業・就職先がなく、学生・研究者の減少
 - 応用・開発側との連携不足
 - 知財の収益化経験の不足
- **製造開発の課題**
 - グローバルで上市を目指せる国内CDMOの不在
 - 品質薬事専門家の不在
- **臨床側の課題**
 - 再生医療の有効性評価指標の未開発
 - 再生医療の治験実施施設・人材の不在
 - 患者会の力不足
- **資金側の課題**
 - 必要な開発費と投資額・補助金額の乖離
 - バイオ創薬分野でのグローバル創薬成功例の不在

課題への対応案

- **基礎研究・応用研究段階からの先を見据えた開発支援**
 - ディスカバリーフェーズから新薬開発のルートに乗せるシステム構築
- **製造開発支援**
 - 助成金・規制側と連携した先に繋がる臨床用ベクター製造パッケージ
- **遺伝子治療治験拠点病院**
 - 再生医療治験をシステムティックに実施可能な専門病院
- **バイオベンチャーの育成**
 - アカデミア知財をグローバルで収益化するバイオベンチャーの出現