



セルアクシア 関誠社長

創業 2017年1月
資本金 13億6500万円
従業員 20人

難病克服へ「細胞治療薬」で挑む

有効な治療法がない自己免疫疾患のひとつ「シェーグレン症候群」を対象とした細胞治療薬の開発が日本国内で行われている。シェーグレン症候群は涙や唾液をつくる臓器が炎症を起こし、目や口腔内が乾燥する疾患で、現状では根本的な治療法がない。開発しているのは再生医療ベンチャーの「セルアクシア」(東京都)。現在、口腔乾燥症をとまう同症候群の第Ⅱ相試験を実施中だ。会社設立の経緯やパイプライン、今後の戦略について、関誠社長に話を聞いた。

――設立の経緯は。
関 大学院の頃から20年間、基礎医学研究に従事し、そのなかで日

本の研究レベルの高さと、世界レベルの競争力を実感してきた。その後の15年間は研究開発から実用化の製品開発を経験し、複数の国内バイオベンチャーの事業にも関わった。その経験をもとに、日本の優れた先端技術の実用化をめざし、17年1月に会社を創業した。

――開発方針について。
関 市場が大きい疾患の治療薬開発を優先する大企業とは一線を画し、患者数が少ないために開発が置き去りにされてきた難病、希少疾病を対象にしている。創業時から開発方針として3つの条件を満たしたプロジェクトを選択するようになっている。①製造管理工程の

単純化/最適化、②安全性の高い細胞、③希少疾病、難病から開発し、その後に適応症を拡大できる――。この条件に合致するのが当社の開発パイプライン「E-MNC (Effective-MonoNuclearCell プロジェクト)」と「ダイレクトコンバージョン(DC)プロジェクト」だ。

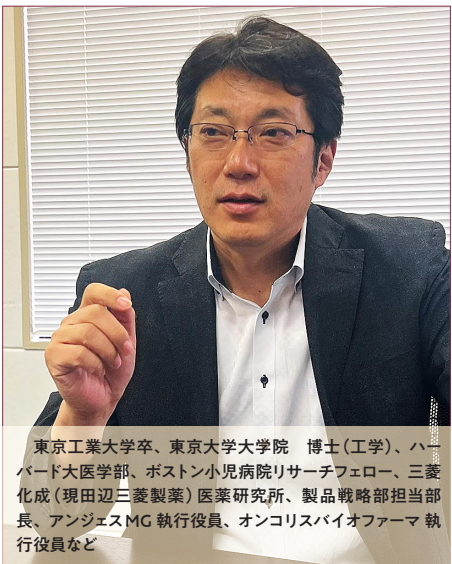
細胞治療薬「CA1702」(開発コード)は、当社が製造法と品質管理技術を開発した自己細胞治療薬E-MNCプロジェクトのひとつで、自身の白血球を利用して難治性炎症疾患の障害を受けた組織の機能を再生する。E-MNCは、抗炎症作用と組織修復機能を有するM2マクロファージを多く含む、炎症などによる組織障害の病態モデルで組織修復や再生を促す薬理活性が示されている。

E-MNCで特長的なのが、製造管理工程をこれ以上簡単にできないくらい簡素化している点だ。末梢血単核球を原料として約1週間、培地交換なしで培養してつくる。細胞は増やさずに精製工程もない。製造スペースもコンパクトになる。再生医療等製品は製造と品質管理

のコストが高過ぎ、ビジネスとして赤字になる傾向がある。このため製造管理工程が簡素であるという条件は非常に重要となる。コストとの兼ね合いで、製造法がどれだけシンプルかが勝負となる。

――コスト面から自家細胞よりも他家細胞という選択もあるのでは。
関 コストが最小化できるのを前提とするならば、安全性が高いものから実用化するのが合理的と考える。自己の体細胞を使ったほうが、他家細胞より比較的高い安全性が期待できる。安全性の担保がとくに重要。我われ研究者が安全と考えるものは、審査側も安全と判断しやすいと思う。安全性の面から科学的に必要な前臨床パッケージを合意しやすい。まずは自家で安全性を確保し、それから他家に展開すればいいのではないかと。

――第Ⅱ相の試験デザインは。
関 多施設共同の無作為化二重盲検、プラセボ対象比較試験で行っている。再生医療分野では決して多くないデザインで驚かれる。被験者数は20人。CA1702を局所単回投与した場合の安全性と有効性を探索的に検討する。



東京工業大学卒、東京大学大学院 博士(工学)、ハーバード大医学部、ポスト小児病院リサーチフェロー、三菱化成(現田辺三菱製薬) 医薬研究所、製品戦略部担当部長、アンジェスMG 執行役員、オンコリスバイオファーマ 執行役員など

になるかもしれない。第Ⅱ相の結果によって、治療対象範囲を検討する予定。

――開発費の確保はどうか。
関 昨年の資金調達で第Ⅱ相以降の開発費を確保できた。会社設立から6年間で出資額の

る。患者の検体が届くのを待ち、投与するタイミング、予約まで病院と連絡をとりながら製造する。このため従来の医薬品の流通システムとは異なる。まず自分たちでコンパクトな製造販売システムをつくる必要があり、まさに治験を通して、そのシステムを構築しているところだ。

細胞培養加工施設については、優秀な受託機関が国内にはある。全国的に製品として流通させることができる企業があるので、全部を自社で行うというわけではない。まずシェーグレン症候群で、新しいビジネスモデルを立ち上げ、さらに適応拡大をしながら、その疾患に興味のある製薬企業などと一緒に事業を拡大できればと思う。もちろん海外展開も考えている。オーダーメイド型の個別化医療として、そのシステムごと契約によって提携して技術移転していく。

――他のパイプラインはどうか。
関 E-MNCプロジェクトとして、放射性唾液線萎縮症を対象とした「CA1701」の第Ⅰ相がアカデミア主導で行われている。また、自己免疫疾患全般、心筋梗塞、

治験を開始するうえで医薬品医療機器総合機構との対面助言は非常にスムーズに進んだ。20年頃から事前面談を始め、品質、臨床で対面助言を受けたが、いずれも1回で通過した。機関投資家からは1回で済む再生医療系ベンチャーは少ないと言われた。対面助言の後には2週間で治験計画届を提出することができた。第Ⅱ相は来年中に終了する予定だ。結果が出れば、製品としてのポテンシャルがわかる。その段階で製薬企業にも説明ができると思う。

シェーグレン症候群患者は国内に約7万人いるとされている。3分の1ぐらいがこの治療法の対象

総額は20億円を超えた。複数のベンチャーキャピタル(VC)から出資がある。さらにナショナルプロジェクトとして、創業から3年間で4件、総額約3・5億円の公的補助金も得た。当社のVCからの資金調達の特徴は単発での出資でなく複数回にわたる点だ。これは経営計画と予算計画をリンクさせてマイルストーンを設定、達成したうえで出資してもらっているためだ。これまでのところ事業はほぼ計画に沿うかたちで進んでいる。――上市に向け製造、流通体制を整える必要があるが。

関 E-MNCのプロジェクトは、オーダーメイドの個別化医療とな

脳梗塞を適応症とした探索研究として、「CA1703」を進めている。これは薬機法に基づく治験を想定している。動物でのPOCは取得している。ただ、全身投与するため、まずは局所投与であるCA1702の成果を見たい。

もうひとつの柱がDCプロジェクト。線維芽細胞を原料とし、短期間でかつ簡易な製造工程で骨芽細胞などをつくり出せる技術を保有している。DCプロジェクト細胞治療薬として、骨芽細胞や褐色脂肪細胞、シユワン細胞を想定している。前臨床段階でいずれも動物でのPOCを完了した。遺伝子治療薬としても探索研究をしており、複数の物質特許も日米欧で成り立っている。DCプロジェクトのうち骨芽細胞を用いた骨造成法の研究開発では昨年10月、メデイネットと実用化・商業化を目的とした事業提携の基本合意書を締結した。歯科診療領域で画期的な骨造成治療法の実用化をめざしたい。

――上場に関してはどうか。
関 当然ながら視野に入れている。時期は述べられないが、最終段階に入りつつある。(今岡)