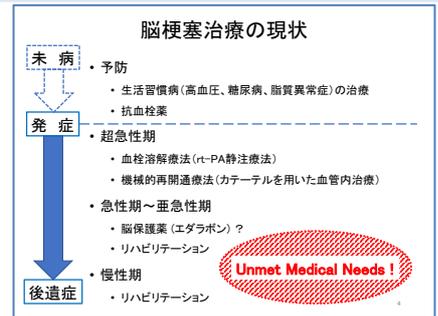


「もう治らない」と言われた患者に「治る」を届ける ～幹細胞がかなえる未来の治療～

株式会社 RAINBOW

脳梗塞と再生医療

- ・ 脳梗塞は脳卒中全体の約7割を占め、脳梗塞の発症率は現在も増加(約 30 万人/年)している。
- ・ 超急性期治療の開発は進みつつあるが、慢性期後遺症治療が Unmet medical needs であり、再生医療に期待があつまる。



北海道大学脳神経外科の脳梗塞再生医療

- ・ 2001 年から自家骨髄間葉系幹細胞(MSC)による再生医療を研究。
- ・ 脳梗塞は細胞ネットワークが広範に障害を受けるため、iPS 細胞による治療戦略は病態的に不向きであり、MSC が製品開発の中心である。
- ・ 亜急性期脳梗塞(発症約 2 ヶ月)に対して自家 MSC 製品 HUNS001 の脳内直接投与に関する治験を実施した(2017～21 年)。
- ・ 7 名の患者に投与され、有効性が期待できる結果(奏効率 71%)を得た。
- ・ HUNS001 は自家 MSC 製品であるため、病変に細胞が長期生着し、治療効果が持続する。

PRESS RELEASE 2021/8/6

脳梗塞に対する再生医療等製品の研究開発
～医師主導治験 RAINBOW 研究の結果報告～

奏効率: 5/7 = 71.4%

投与12ヶ月時点のmodified Rankin Scaleの1以上改善、もしくはFugl-Meyer Motor Scale 上肢6点以上、下肢4点以上、計9点以上のいずれかの改善

RAINBOW 社の設立

- ・ 研究結果を社会実装させるため、北大発ベンチャーとして 2019 年に当社を設立した。
- ・ 当社創立メンバーは脳卒中専門医 4 名であり、患者と医師のニーズを熟知している。
- ・ 包括的で戦略的な知財管理システムであり、すべての知財は、当社にライセンスアウトされている。
- ・ 次相以降は早期慢性期(発症 6 ヶ月～5 年)が対象である。
- ・ 2023 年度中に第 1/2a 相治験(8 症例程度、非対照試験)を開始する。
- ・ その後、第 2b 相治験(多施設共同、約 40 症例、プラセボ対照試験)に進み、2028 年度の薬事承認を目指す。
- ・ 2037 年時点で国内年間約 4500 例、売上高 450 億円を見込む。

HUNS001 のビジネスモデル

- ・ セントラル GPC でのパーソナルな自動培養製法で、自家製品の産業化の壁を打ち破る。 上市後のスケールアップ、全国展開も容易である。
- ・ キムリア(=ノバルティス社の自家細胞製品)のように、ファースト・イン・クラスとして新規市場を創出し、デファクト・スタンダードを目指す。
- ・ 国際共同治験を通じて海外展開を目指す。 当社創立メンバーは、SB623、HLCM051 の国際治験などを通じて、米国治験医師グループと長年の強固なコネクションを有する。

図 1. 自家細胞と培養機器のコスト比較
培養自動化技術の転向
グローバル大手企業の関係系自動培養装置開発に伴い、製造工程の自動化・機械化は今後進捗する。

| LONZA (Cocoon) | Terumo (Quantum) | Hitachi (ACE2) |
|---|---|--|
| ■ トレー (造り) からの細胞採取から製品化までの工程を自動化 ■ 自家細胞・他家細胞両方に活用可能 ■ 細胞培養に必要とする培養条件の迅速な設定 ■ 培養槽からの細胞採取製品化まで一括可能 | ■ 細胞培養に開けらるスラブについて ■ 培養槽の交換が容易 ■ 最大 20 回の培養長期維持が可能 ■ 細胞培養槽の交換が容易 ■ GMP 準拠のクリーンルームに必要となる ■ ペーストや配管キヤビネットを削減可能 | ■ 細胞培養システム ■ 自家細胞培養に活用可能 ■ 細胞培養、細胞培養、細胞培養を準備条件下で実施可能 |

出典: 株式会社アール・アイ・システムズと株式会社アール・アイ・システムズ
© Arthur D. Little 21

本社所在地 北海道札幌市北区北 21 条西 12 丁目 2 北大ビジネス・スプリング 206 号室
ホームページ <https://www.rainbowinc.co.jp>
本件の連絡先 七戸 秀夫(当社研究開発担当取締役: hshichi@med.hokudai.ac.jp)

