



会社説明会

タカラバイオ株式会社
 代表取締役社長
 仲尾 功一
 2016年12月20日
 東証一部 4974

寶酒造(株) (現 宝ホールディングス(株)) の バイオ事業部門としてスタートしたタカラバイオ(株)

<沿革>

- 1967年 寶酒造(株) 中央研究所設立
- 2002年 タカラバイオ株式会社設立
- 2004年 東証マザーズ上場
- 2014年 遺伝子・細胞プロセッシングセンター稼働
- 2015年 新研究棟完成
滋賀県草津市へ本社機能を移転
- 2016年 東証一部へ市場変更

<会社概要>

- 設立 2002年4月1日
- 資本金 149億65百万円*
- 代表取締役社長 仲尾 功一
- グループ従業員数 1,320名*
- 本社 滋賀県草津市
- 主要株主 宝ホールディングス株式会社 (60.91%*)

※2016年9月末現在



新研究棟

遺伝子・細胞
プロセッシングセンター



技術基盤かつ収益基盤であるバイオ産業支援事業 世界中のバイオ研究者が、製品・サービスの顧客

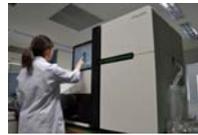
1. 遺伝子を増幅するための酵素などの**研究用試薬**（1品目：数千円～数十万円～）
2. 遺伝子を増幅・解析する装置などの**理化学機器**（1台：数百万円～数千万円～）
3. 研究者（顧客）からサンプルを預かり、遺伝子解析や細胞加工などの作業を有償で行い、得られたデータを納品する**受託サービス**（1サービス：数十万円～数千万円～）



研究用試薬



PCR装置



遺伝子解析受託サービス



細胞加工受託サービス

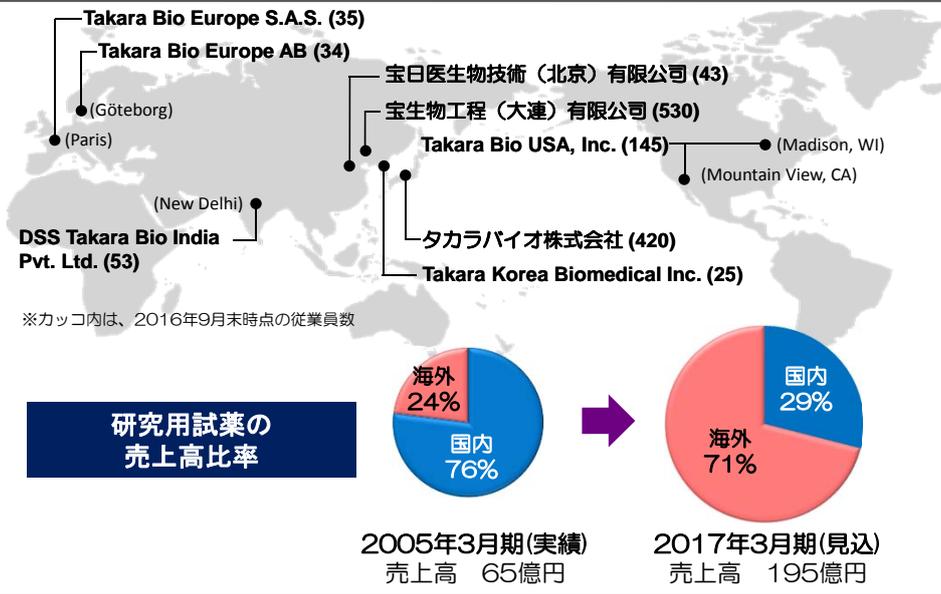
研究用試薬の基幹工場は、宝生物工程(大連)有限公司（1993年設立） 価格競争力の高い製造体制を構築

資本金：23億5千万円

従業員数：530名



全世界に販売網を構築 中国大連市に加え、インドへも製造・販売拠点を展開

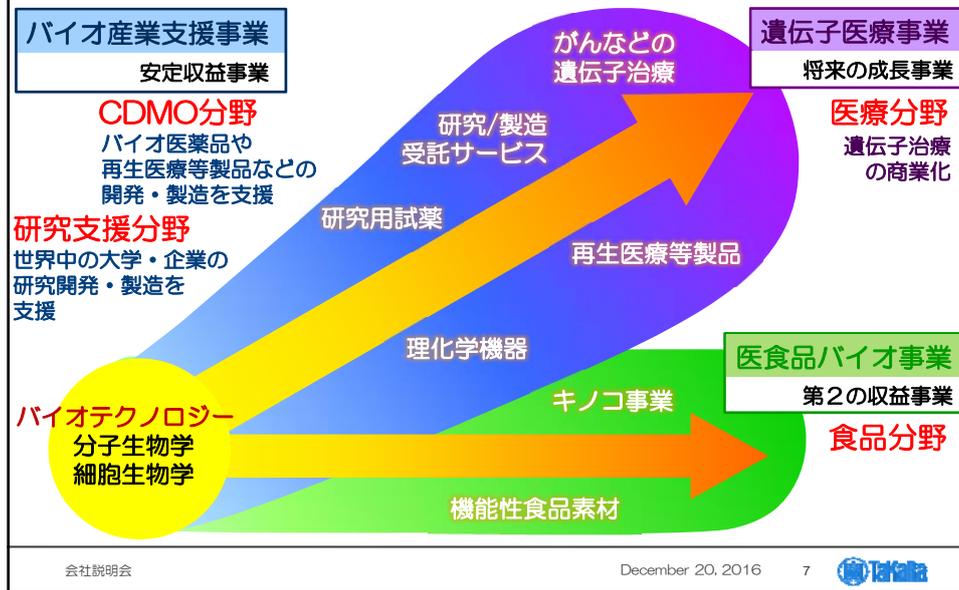


2017年3月期 連結通期業績 見込 (7期連続増益)

(百万円)

	17/03期 見込	前期比		17/03期 見込																						
売上高	28,600	▲1,129	<table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <thead> <tr> <th style="width: 60%;">売上高内訳</th> <th style="width: 40%;">17/03期 見込</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>バイオ産業支援</td> <td style="text-align: right;">26,195</td> </tr> <tr> <td> 研究用試薬</td> <td style="text-align: right;">19,515</td> </tr> <tr> <td> 理化学機器</td> <td style="text-align: right;">2,663</td> </tr> <tr> <td> 受託</td> <td style="text-align: right;">3,527</td> </tr> <tr> <td> その他</td> <td style="text-align: right;">488</td> </tr> <tr> <td>遺伝子医療</td> <td style="text-align: center;">-</td> </tr> <tr> <td>医食品バイオ</td> <td style="text-align: right;">2,404</td> </tr> <tr> <td> 健康食品</td> <td style="text-align: right;">882</td> </tr> <tr> <td> キノコ</td> <td style="text-align: right;">1,522</td> </tr> <tr> <td>売上高合計</td> <td style="text-align: right;">28,600</td> </tr> </tbody> </table>	売上高内訳	17/03期 見込	バイオ産業支援	26,195	研究用試薬	19,515	理化学機器	2,663	受託	3,527	その他	488	遺伝子医療	-	医食品バイオ	2,404	健康食品	882	キノコ	1,522	売上高合計	28,600	
売上高内訳	17/03期 見込																									
バイオ産業支援	26,195																									
研究用試薬	19,515																									
理化学機器	2,663																									
受託	3,527																									
その他	488																									
遺伝子医療	-																									
医食品バイオ	2,404																									
健康食品	882																									
キノコ	1,522																									
売上高合計	28,600																									
売上原価	12,061	▲1,343																								
売上総利益	16,538	+214																								
販売費及び一般管理費	13,688	+32																								
営業利益	2,850	+182																								
経常利益	3,150	▲151																								
親会社株主に帰属する当期純利益	1,350	+15																								
研究開発費	4,275	+0																								

タカラバイオが展開する事業領域



ライフサイエンス分野における Key Trends

Precision Medicine / Molecular Diagnostics

- ◆ 分子診断・分子標的薬・テーラーメイド医療（個の医療）
- ◆ 簡単・非侵襲、かつ情報量の多い検査結果が必要

Regenerative Medicine / Gene & Cell Therapies

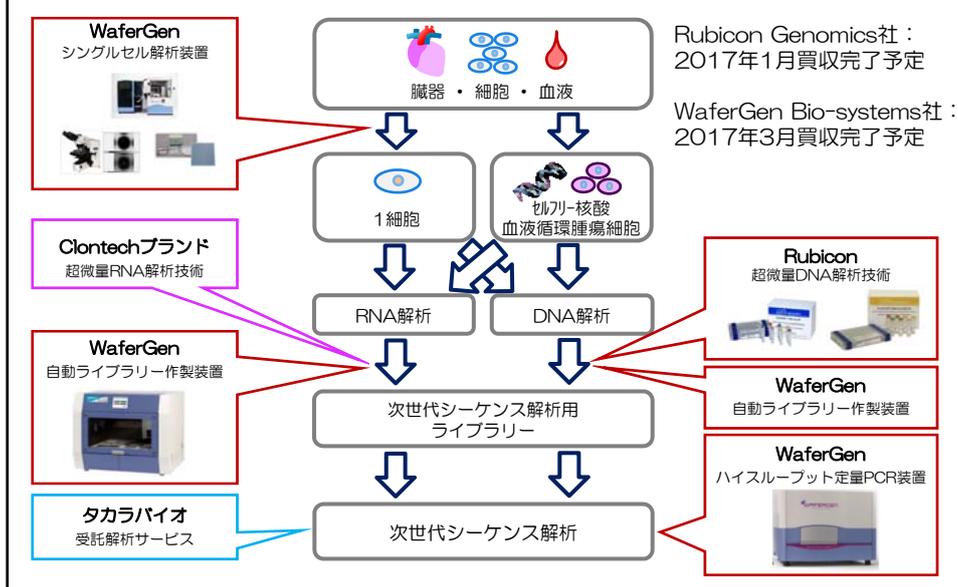
- ◆ 再生医療等製品（遺伝子治療・細胞医療）



求められている技術・製品・サービス

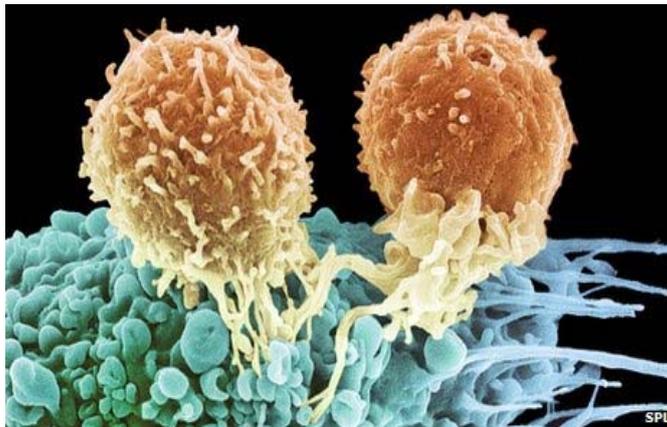
- ◆ 分析の難しい微量サンプルでの高感度・高精度分析
- ◆ 次世代シーケンサー用のGene PanelやマルチプレックスPCR
- ◆ 抗体とTCRの精製、クローニング、解析技術（シングルセル解析）
- ◆ 自動化、反応系の微量化、スループット&再現性向上
- ◆ 創薬研究ツール、病態モデル、ゲノム編集によるCell Engineering
- ◆ 高効率遺伝子導入技術、発現システムや細胞培養システム

バイオ産業支援事業：超微量サンプル解析分野の強化 Rubicon社・WaferGen社の買収



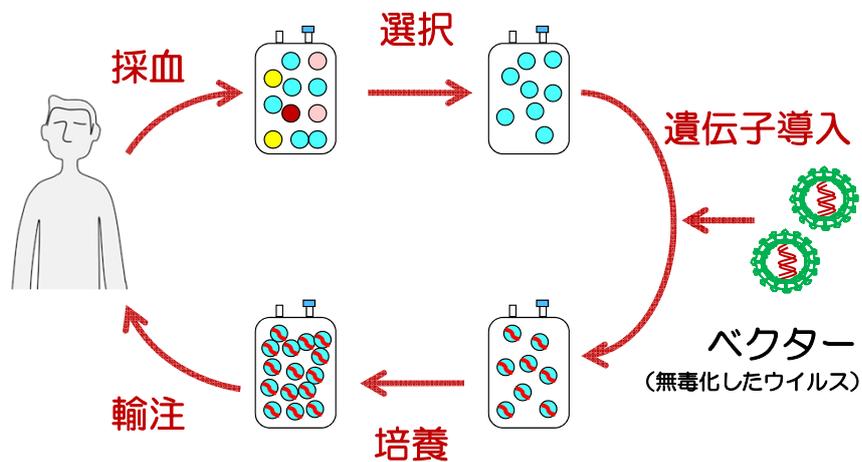
バイオ産業支援事業で培った技術、収益をベースに 遺伝子治療の商業化を目指す

細胞を解析 → 細胞を創造



「がん細胞を攻撃するリンパ球：三重大学珠玖教授より提供」

体外遺伝子治療：
治療に役立つ**遺伝子**を導入した**細胞**が「医薬品」



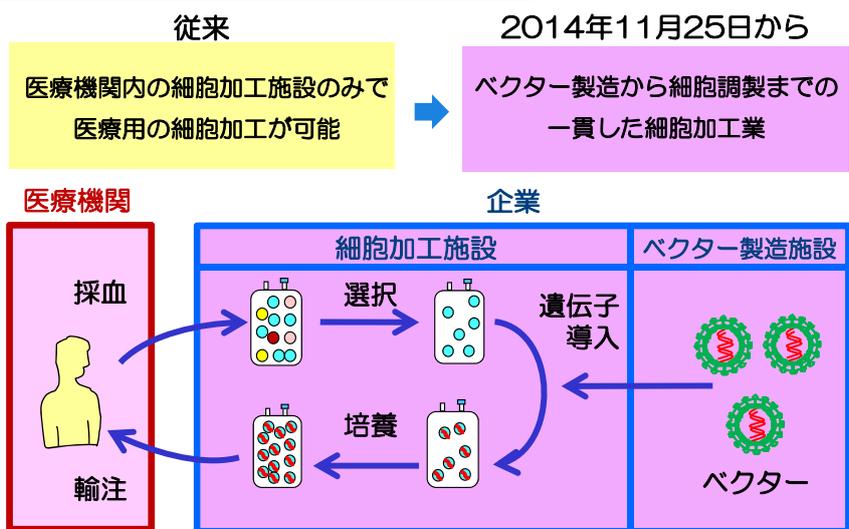
会社説明会

December 20, 2016

11



薬事法改正法・再生医療等安全性確保法施行後の
細胞加工業のビジネスモデル



会社説明会

December 20, 2016

12



再生・細胞医療の周辺産業の市場規模は急成長が予測されている

◆消耗品類

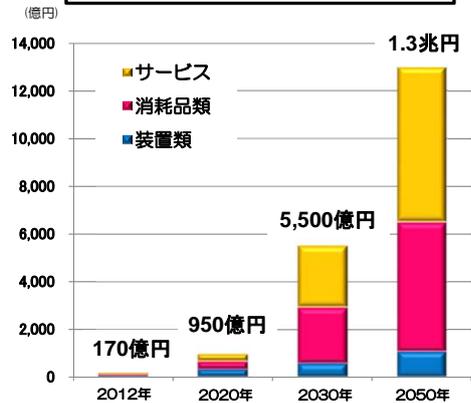
- ・研究用試薬
- ・細胞培養用培地・バッグ



◆サービス

- ・細胞加工受託
- ・細胞品質管理受託
- ・GCTP/GMPベクター製造受託
- ・遺伝子解析受託
- ・遺伝子検査受託
- ・技術支援サービス

再生・細胞医療周辺産業の国内市場規模予測



※経済産業省「再生医療の実用化・産業化に関する報告書」を当社にて編集



遺伝子・細胞プロセッシングセンター 「医薬品」となる遺伝子と細胞の製造工場



- ・2014年10月 稼働
- ・2014年11月 再生医療関連新法施行
- ・2015年 5月 特定細胞加工物製造許可取得 (施設番号: FA5150002)
- ・2017年 4月 川崎市殿町地区ライフイノベーションセンター 細胞調製室が稼働開始予定



3階

- 品質試験
- 細胞加工



2階

- 組換えタンパク質精製
- 無菌充填
- 各種ウイルスベクター製造
- 3階細胞加工エリア入口

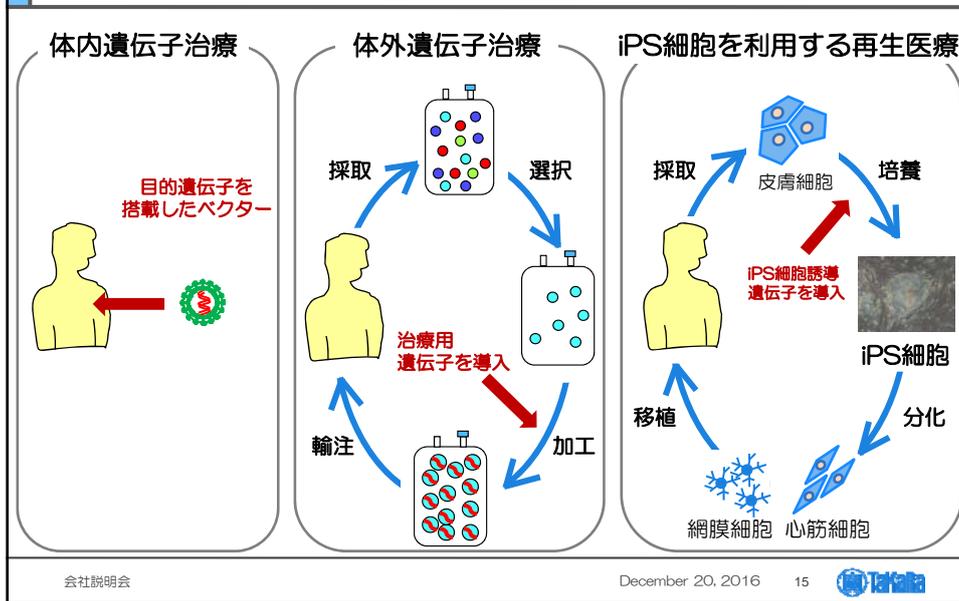


1階

- セルバンク保管
- 大腸菌MCB、プラスミドベクター製造
- 品質試験 (無菌試験、マイコプラズマ試験)
- 原料保管
- 無菌充填エリア入口
- ウイルスベクター製造エリア入口



iPS細胞を利用する再生医療も 遺伝子導入細胞を“医薬品”として利用する



自治医科大学による AADC欠損症患者への遺伝子治療

2016年3月21日放送

「希望の一滴～遺伝子治療が運命を変えた～」



遺伝子治療で歩行訓練を始めた兄妹

有効な治療法がなかった希少難病、AADC欠損症。発作に苦しみ、寝たきりの状態となる病気だ。この患者に希望の光が差し込んだ。それは『遺伝子治療』。自治医大チームは、2015年夏、AADCをつくる遺伝子を組み込んだ『ベクター』と呼ばれる遺伝子治療薬をこの患者の脳

内に入れる手術を実施。数か月後には、歩行練習を始めるほどに運動機能が劇的に改善する。番組では、自治医大の遺伝子治療チームを独占取材し、難病患者・家族の苦悩と先端医療への期待を伝える。

引用元：テレビ朝日 テレメンタリー2016

AADC：脳内の神経細胞を活性化するホルモンであるドーパミンを生体内で作る時に必要な酵素



タカラバイオの遺伝子・細胞プロセッシングセンターで製造

会社説明会

December 20, 2016

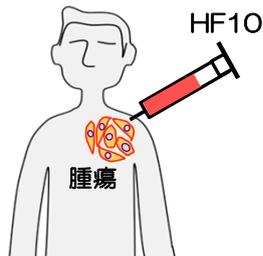
16



タカラバイオは がんをターゲットにした遺伝子治療の臨床開発を推進

Oncolytic Virus
(腫瘍溶解性ウイルス)

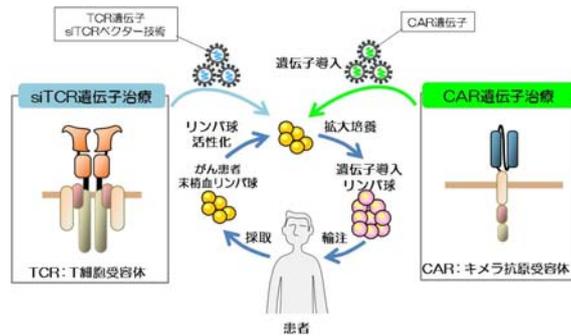
HF10プロジェクト



Engineered T cell Therapy
(分子標的T細胞療法)

siTCR遺伝子治療プロジェクト

CAR遺伝子治療プロジェクト



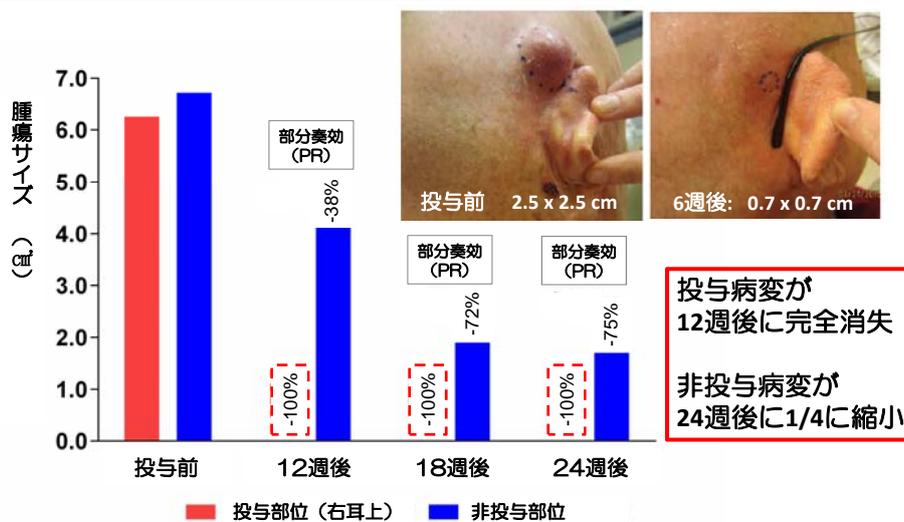
会社説明会

December 20, 2016

17



HF10プロジェクト：米国第Ⅱ相臨床試験主要データ（1） 腫瘍縮小例



会社説明会

December 20, 2016

18



HF10プロジェクト：米国第Ⅱ相臨床試験主要データ（2） HF10とイピリムマブの併用による有効性を示唆

最良総合効果（Best Overall Response） N = 46

	24週目	24週以降
Overall Response (CR + PR)	19 (41%)	22 (48%)
Clinical Benefit (CR + PR + SD)	30 (65%)	30 (65%)
完全奏効 (CR)	7 (15%)	9 (20%)
部分奏効 (PR)	12 (26%)	13 (28%)
安定 (SD)	11 (24%)	8 (17%)
進行 (PD)	13 (28%)	13 (28%)
評価不能 (NE)	3 (7%)	3 (7%)

(参考情報)

最良総合効果 (Best Overall Response)

	Overall Response (CR + PR)
イピリムマブ*	19%
イピリムマブ + ニボルマブ*	57%

* Larkin J, et al. N Eng J Med. 2015;373:23-34

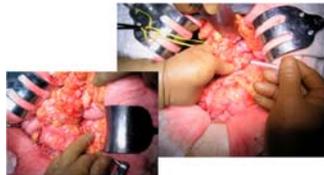
HF10プロジェクト：米国第Ⅱ相臨床試験主要データ（3） 既存治療では有効性を示さない患者に対する有効性を示唆

最良総合効果 (Best Overall Response) N = 46

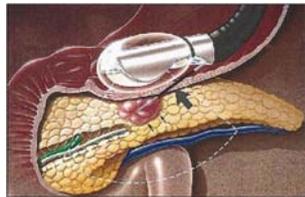
	ガン治療歴無 N = 26	ガン治療歴有 N = 20
Overall Response (CR + PR)	14 (54%)	8 (40%)
Clinical Benefit (CR + PR + SD)	17 (65%)	13 (65%)
完全奏効 (CR)	5 (19%)	4 (20%)
部分奏効 (PR)	9 (35%)	4 (20%)
安定 (SD)	3 (12%)	5 (25%)
進行 (PD)	7 (27%)	6 (30%)
評価不能 (NE)	2 (8%)	1 (5%)

HF10プロジェクト：膵がんを対象とした臨床研究

- ◆ 切除不能進行膵がんに対するHF10臨床研究
- ◆ 症例数：9例（ステージIVa）
- ◆ プロトコール：ゲムスタビン・エルロチニブの併用



HF10単剤での臨床研究※



内視鏡によるHF10投与の模式図※※

総合効果（Overall Response） N = 9

部分奏効（PR） 3（33%）

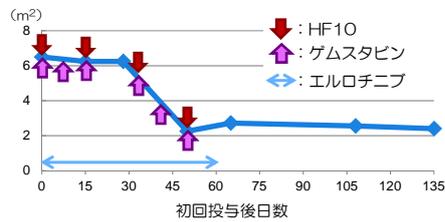
うち、外科的完全奏効（CR） 2（22%）

安定（SD） 4（44%）

進行（PD） 2（22%）

◆ 生存期間中央値：15.5ヶ月

腫瘍サイズ推移（被験者A）



※ Nakao A. et al. Cancer Gene Ther. 2011;18(3):167-175 ※ Kasuya H. 第54回日本癌治療学会学術集会スポンサーシンポジウム3

遺伝子治療プロジェクトの臨床開発 プロジェクトの選択と集中

自社単独開発プロジェクト			対象疾患	現状	商業化目標	
Oncolytic Virus	HF10 (TBI-1401)		日本	メラノーマ	Phase I 進行中 Phase II 開始準備中	平成30年度
Engineered T cell Therapy	siTCR	NY-ESO-1 (TBI-1301)	日本	滑膜肉腫	Phase I/II 開始準備中	平成32年度
	CAR	CD19・CAR (TBI-1501)	日本	成人ALL※	Phase I/II 開始準備中	平成32年度
提携プロジェクト			対象疾患	現状		
Oncolytic Virus	HF10 (TBI-1401)		日本	膵臓がん	Phase I 開始準備中	
			米国	メラノーマ	Phase II 進行中 Phase III 計画中	
Engineered T cell Therapy	siTCR	NY-ESO-1 (TBI-1301)	日本	食道がんなど	Phase I 進行中	
		MAGE-A4 (TBI-1201)	日本	食道がんなど	Phase I 進行中	
	CAR	CD19・CAR (TBI-1501)	日本	小児ALL※	計画中	

ALL：急性リンパ性白血病

HF10プロジェクト：大塚製薬(株)と提携

大塚製薬(株)との提携内容

- ◆ 権利範囲：膵がん等の癌腫を対象としたHF10の共同開発および独占的販売権
(HF10製剤は当社が製造し、有償提供)
- ◆ 対象地域：日本国内
- ◆ 契約金：最大30億円（契約一時金・開発進捗マイルトーン）

HF10の上市后スキーム



会社説明会

December 20, 2016

23

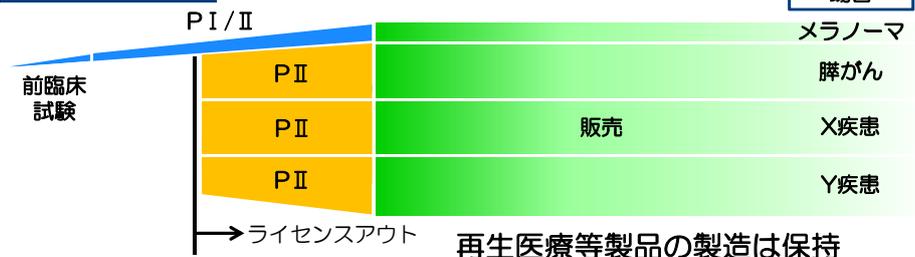


遺伝子治療(再生医療等製品)の商業化を加速 当社のビジネスモデル

従来の創業ベンチャーの ビジネスモデル



当社の ビジネスモデル



将来の見通しに関する注意事項

資料中の当社による現在の計画、見通し、戦略、確信などのうち、歴史的事実でないものは、将来の業績に関する見通しであり、これらは現時点において入手可能な情報から得られた当社経営陣の判断に基づくものですが、重大なリスクや不確実性を含んでいる情報から得られた多くの仮定および考えに基づきなされたものであります。実際の業績は、さまざまな要素によりこれら予測とは大きく異なる結果となり得ることをご承知おきください。実際の業績に影響を与える要素には、経済情勢、特に消費動向、為替レートの変動、法律・行政制度の変化、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社の既存製品および新製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的所有権に対する侵害、急速な技術革新、重大な訴訟における不利な判決等がありますが、業績に影響を与える要素はこれらに限定されるものではありません。

お問合せ先：事業開発部
E-mail: bio-ir@takara-bio.co.jp

