

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
 2017年11月30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 1,428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%*)

※2017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

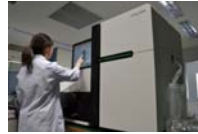
1. 遺伝子を増幅するための酵素などの**研究用試薬**（1品目：数千円～数十万円～）
2. 遺伝子を増幅・解析する装置などの**理化学機器**（1台：数百万円～数千万円～）
3. 研究者（顧客）からサンプルを預かり、遺伝子解析や細胞加工などの作業を有償で行い、得られたデータを納品する**受託サービス**（1サービス：数十万円～数千万円～）



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 価格競争力の高い製造体制を構築

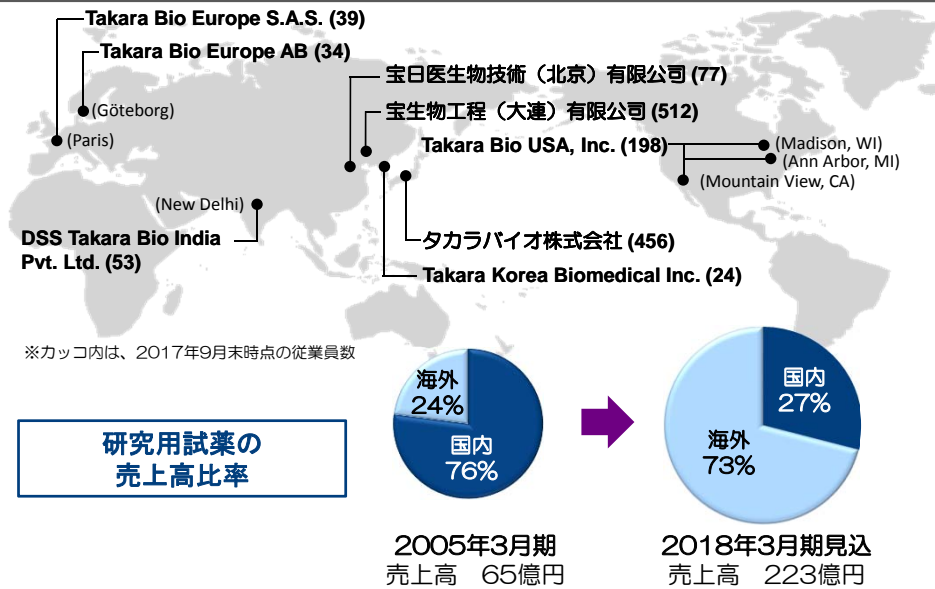
資本金：23億5千万円

従業員数：512名

設立：1993年



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



2018年3月期 連結通期業績（9期連続増益）見込

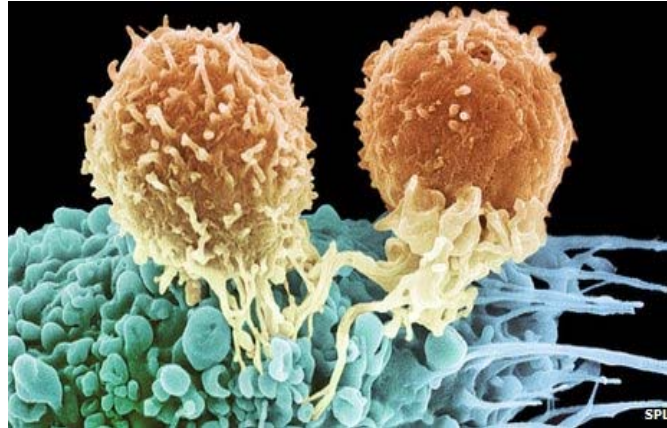
	18/03期 通期予想	前期比
売上高	33,000	+3,624
売上原価	14,318	+1,895
売上総利益	18,681	+1,728
販売費及び一般管理費	15,180	+1,430
営業利益	3,500	+297
経常利益	3,800	+221
親会社株主に帰属する当期純利益	2,000	+647
研究開発費	4,654	+553

売上高内訳	18/03期 通期予想
バイオ産業支援	30,217
研究用試薬	22,331
理化学機器	2,945
受託	4,445
その他	494
遺伝子医療	500
医食品バイオ	2,282
健康食品	711
キノコ	1,570
売上高合計	33,000

(百万円)

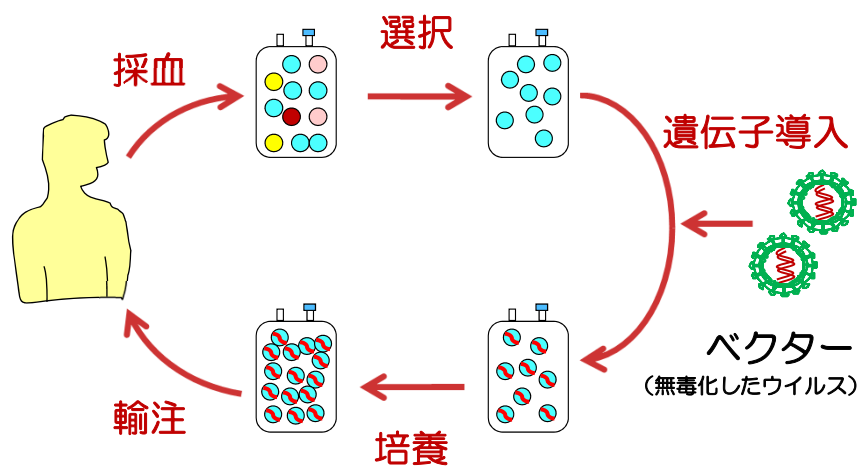
バイオ産業支援事業で培った技術、収益をベースに
遺伝子治療の商業化を目指す

細胞を解析 → 細胞を創造

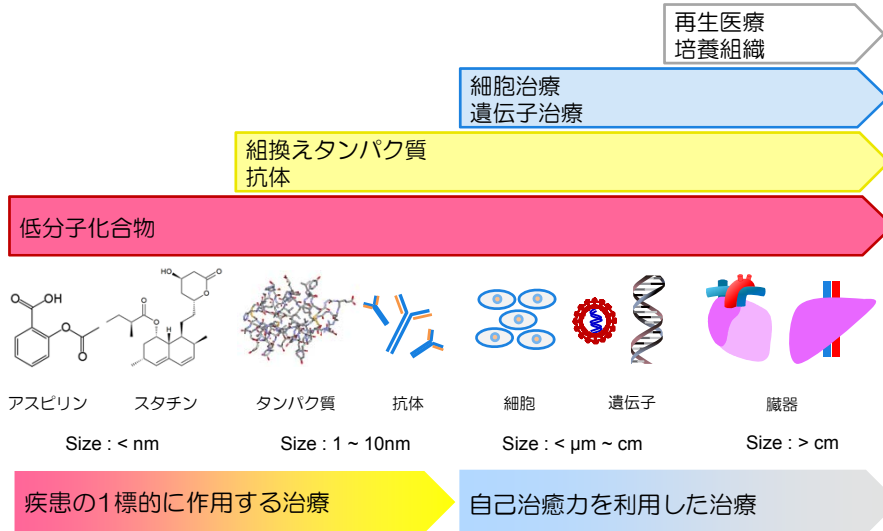


「がん細胞を攻撃するリンパ球：三重大学珠玖教授より提供」

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」



パラダイム・シフト バイオ医薬品(ヒト生体内成分活用医薬品)の台頭



会社説明会

November 30, 2017

9



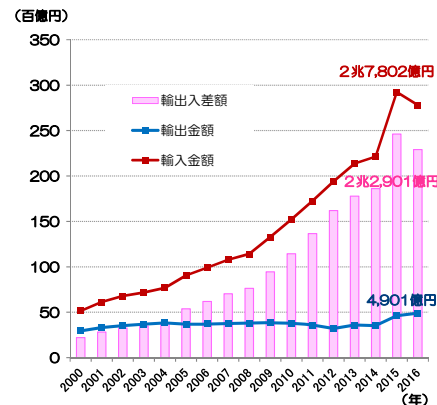
医薬品による日本の貿易赤字は 約2兆3,000億円を超える

世界の医療用医薬品の売上高 (2016年)

順位	製品名	一般名	売上高 (百万ドル)	適応疾患	開発企業名
1	ヒュミラ	アダリマブ	16,420	関節リュウマチ	Abbvie
2	エンブレル	エタネルセプト	9,252	関節リュウマチ	Amgen
3	ハーボニー	レシトスビル /ソホスビル	9,081	C型肝炎ウイルス 感染症	Gilead Sciences
4	レミゲード	インフリキシマブ	8,859	関節リュウマチ	J&J
5	マフセラ/ リツキシマブ	リツキシマブ	7,411	癌 /関節リュウマチ	Biogen
6	レブラミド	レナリドミド	6,974	多発性骨髄腫	Celgene
7	アバステン	ペバズマブ	6,896	癌	Roche
8	ハーセプチン	トラスツマブ	6,885	癌	Roche
9	ランタス	インスリングルグルン	6,323	糖尿病	Sanofi
10	イグザレルト	リバーロキサパン	5,526	抗血液凝固薬	Bayer
13	オブジーボ	ニボルマブ	4,684	癌	小野薬品工業 BMS
19	クレストール	ロス/スタチン カルシウム	3,802	高脂血症	塩野義製薬

■ 抗体医薬 ■ 組換えタンパク ■ 低分子医薬

医薬品の貿易収支推移



財務省「貿易統計」を当社にて編集

会社説明会

November 30, 2017

10



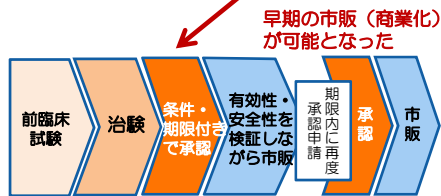
再生医療等製品を取りまく事業環境変化 薬事法の改正と再生医療新法の施行

薬事法改正法（薬機法）

従来の医薬品の承認制度



再生医療等製品の
条件及び期限付き承認制度



再生医療等安全性確保法

従来

医療機関のみが医療用の細胞加工が可能

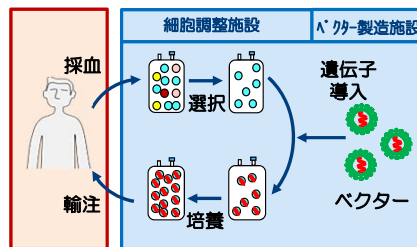


2014年11月25日から

ベクター製造から細胞調製までの
一貫した細胞加工業が可能となった

医療機関

企業



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



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

地下1階



京都大学iPS細胞研究所との iPS細胞研究に関する共同研究を開始

News
Release



2017年1月23日
京都大学 iPS 細胞研究所(CIRA)
タカラバイオ株式会社

京都大学 iPS 細胞研究所とタカラバイオ株式会社の iPS 細胞研究に関する共同研究の開始について

京都大学 iPS 細胞研究所(所在地:京都市左京区、以下「CIRA」(サイラ))とタカラバイオ株式会社(本社:滋賀県草津市、以下「タカラバイオ」)は、このたび、iPS 細胞技術の臨床応用に向けた共同研究を開始しましたのでお知らせします。

iPS 細胞技術は、創薬研究、細胞治療、薬物安全性評価などに応用できる可能性があります。iPS 細胞技術のさらなる発展のためには、品質の保証された iPS 細胞を提供できる体制が不可欠です。そこで CIRA では、2013 年度から再生医療用 iPS 細胞ストックプロジェクト³⁾を推進しています。

今後、より品質の高い iPS 細胞を継続的に製造することを目的として、細胞製造において実績のあるタカラバイオと協力し、CIRA 附属細胞調製施設において、アメリカにおける GMP 体制²⁾の整備ならびに新たな出荷試験項目の規格値等の策定を目指します。本提携は、iPS 細胞技術の研究と臨床応用に大きく貢献するものと期待されています。

CIRA 所長の山中伸弥は、「タカラバイオ株式会社と共同研究を実施することは、iPS 細胞の製造・提供ひいては iPS 細胞技術を用いた医療応用を実現する上で大きな力になります。タカラバイオのご協力に心から感謝申し上げます。この提携を通して、iPS 細胞を安定的に提供できる体制を整え、各研究所および医療機関での研究の進展に貢献してまいります」と述べています。

国内最大級の遺伝子解析受託サービスを展開

- 2000年：ドラゴン・ジェノミクス(株)を設立
三重県四日市市で遺伝子解析受託事業を開始
- 2002年：タカラバイオ株式会社に吸収合併
- 2016年：草津市の新研究棟へ集約
CAP-LAP 認証を取得



ドラゴン・ジェノミクス㈱
(三重県四日市市)



新研究棟(滋賀県草津市)

様々な遺伝子解析受託サービスを提供

- ゲノム構造の解析(次世代シーケンス解析)
- ゲノム変異の解析(SNPs解析)
- 遺伝子発現の解析(マイクロアレイ解析)
- 遺伝子機能の解析(エピジェネティクス解析)



© Thermo Fisher Scientific



© Pacific Biosciences

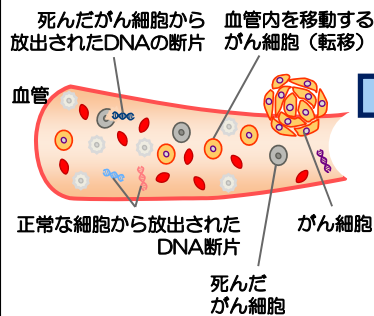


© illumina

クリニカルシーケンス分野進出の加速

大阪大学とゲノム医療推進に関する連携推進協定を締結

リキッドバイオプシーによる プレシジョンメディシン



【WaferGen社製品】
次世代シーケンス用
ライブラリー作製



【受託サービス】
次世代シーケンス解析
(遺伝子変異・異常検出)



【Rubicon社製品】
遺伝子 (DNA・RNA)
抽出・精製

患者の遺伝子変異・
異常を解析して、
適切な治療法を選択

会社説明会

November 30, 2017

15



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

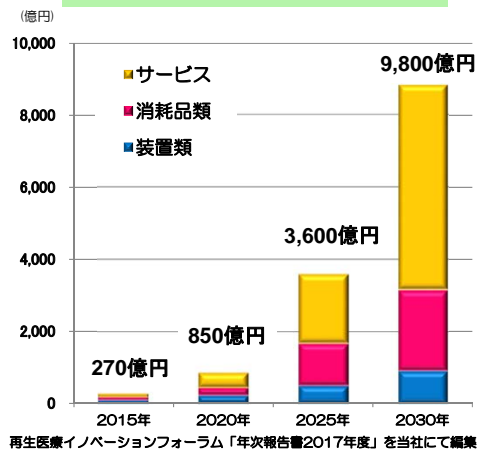
- ・研究用試薬
- ・細胞培養用培地・バッグ



◆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



会社説明会

November 30, 2017

16



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。

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

引用元：テレビ朝日 テレメンタリー-2016

会社説明会

November 30, 2017

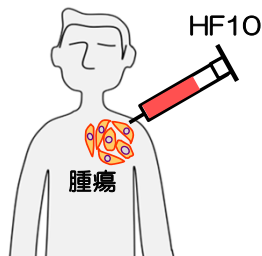
17



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)

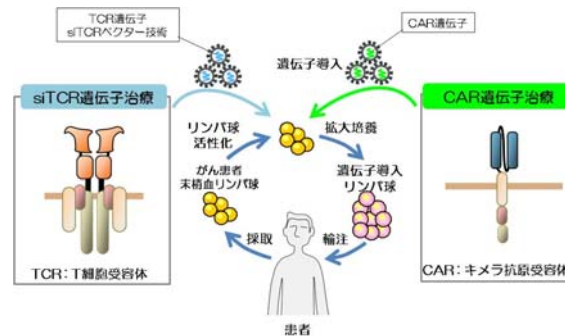
HF10プロジェクト



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



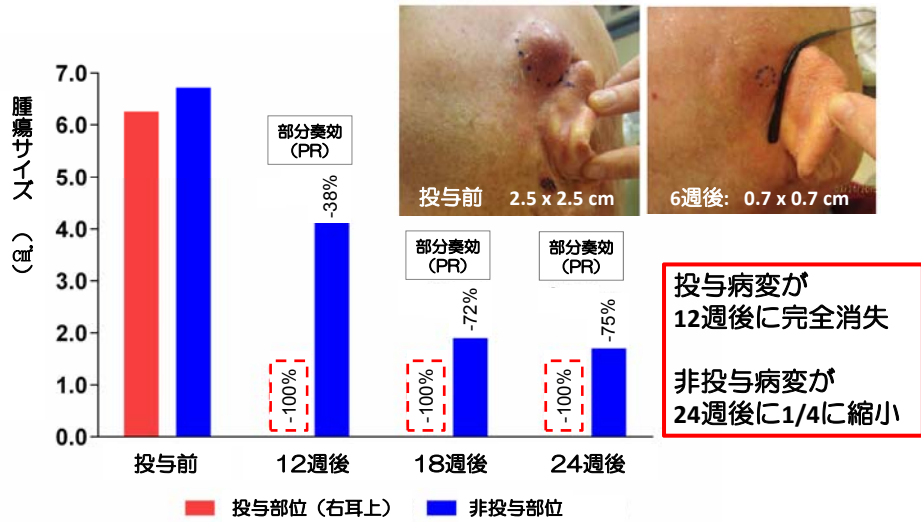
会社説明会

November 30, 2017

18



HF10プロジェクト 転移性悪性黒色腫への腫瘍縮小効果 (1)



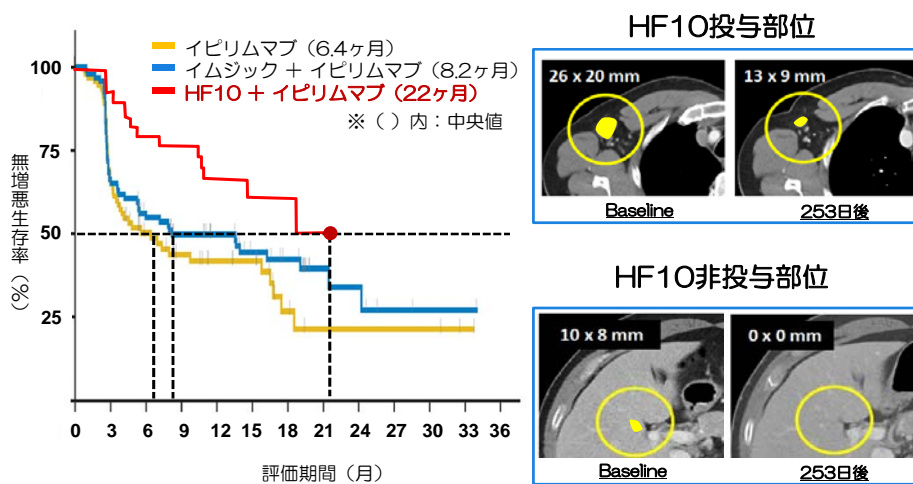
会社説明会

November 30, 2017

19



HF10プロジェクト 転移性悪性黒色腫への腫瘍縮小効果 (2)



※ Andtbacka RHI. The 9th World Congress of Melanoma (2017年:オーストラリア) 発表資料より改変

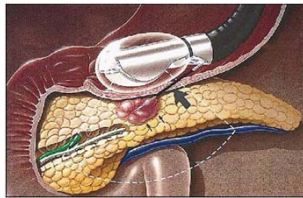


HF10プロジェクト：膵がんを対象とした臨床研究

- ◆ 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%）

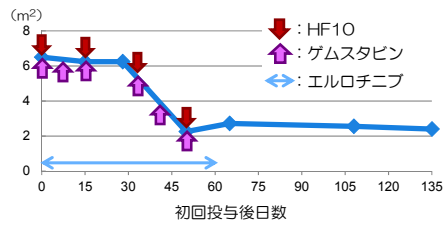
うち、外科的完全奏効（CR） 2（22%）

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）

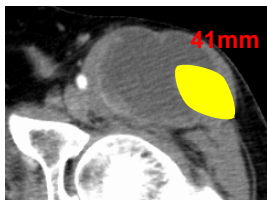
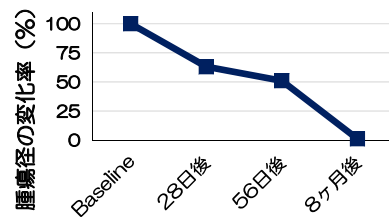


※ Nakao A. et al. Cancer Gene Ther. 2011;18(3):167-175 ※ Kasuya H. 第54回日本癌治療学会学術集会スポンサーシンポジウム3

NY-ESO-1・siTCR™プロジェクト 固形がんに対する医師主導治験結果

コホート	疾患	腫瘍縮小効果（56日）
低用量コホート (5×10^8 cells) 全3例	乳癌	進行
	滑膜肉腫	安定※
	右耳下腺癌	安定
高用量コホート (5×10^9 cells) 全3例	滑膜肉腫	部分奏効
	滑膜肉腫	部分奏効
	悪性黒色腫	安定

※対象腫瘍が非常に微小



Baseline



56日後：部分奏効



8ヶ月後：完全奏効

会社説明会

※第21回がん免疫学会（2017年）三重大学発表資料より編集 Takara

遺伝子医療事業の開発パイプライン

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	悪性黒色腫	Phase II 進行中
Engineered T cell Therapy	siTCR	NY-ESO-1 (TBI-1301)	日本	滑膜肉腫	Phase I / II 進行中
	CAR	CD19・CAR (TBI-1501)	日本	成人ALL*	Phase I / II 進行中

ALL：急性リンパ芽球性白血病

提携プロジェクト			対象疾患	現状	提携先
Oncolytic Virus	HF10 (TBI-1401)		日本	肺臓がん	Phase I 進行中
			米国	悪性黒色腫	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

会社説明会

November 30, 2017

23

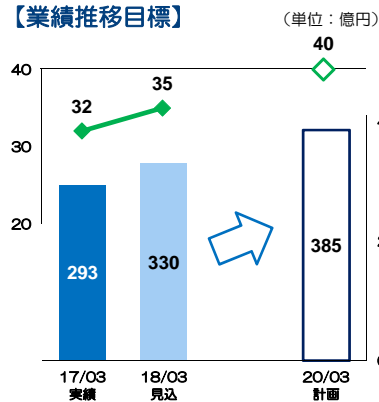


タカラバイオ中期経営計画 目標

定量目標

2020年3月期 タカラバイオ連結業績
売上高 385億円 営業利益 40億円

【業績推移目標】



【事業目標】

- ◆ 遺伝子治療薬の日本初の承認取得
- ◆ 再生医療等製品関連CDMO事業 No.1の堅持
- ◆ WaferGen社・Rubicon社買収シナジーの最大化
- ◆ クリニカルシーケンス領域への事業拡大
- ◆ グローバル物流システムの構築
- ◆ グローバルR&D体制の強化

会社説明会

November 30, 2017

24



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：広報・IR部
E-mail: bio-ir@takara-bio.co.jp