



2024年7月31日

各位

会社名 サンバイオ株式会社
代表者名 代表取締役社長 森 敬太
(コード番号:4592 東証グロース)
問い合わせ先 執行役員経営管理部長 角谷 芳広
(TEL.03-6264-3481)

**「アクーゴ®脳内移植用注」(一般名:バンデフィテムセル)について、
外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善治療薬として条件及び期限付き製造販売承認を取得
～今後のサンバイオの展望～**

サンバイオ株式会社(本社:東京都、代表取締役社長 森敬太、以下サンバイオ)は、ヒト体性幹細胞加工製品「アクーゴ®脳内移植用注」(一般名:バンデフィテムセル、以下アクーゴ®)について、本日2024年7月31日、厚生労働省より「外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善」を効能・効果として、日本における条件及び期限付き製造販売承認を取得したことをお知らせします。製品概要及び承認条件につきましては、別添の資料をご参照ください。

1. 外傷性脳損傷とアンメットメディカル・ニーズについて

外傷性脳損傷は、世界中の主な死因および障害の原因の一つです。2016年の世界の急性外傷性脳損傷の新規患者数は2,700万人(推定)、外傷性脳損傷に続発する慢性障害の患者数は5,550万人(推定)でした¹。外傷性脳損傷および外傷性脳損傷に続発する長期に渡る運動機能障害は、患者さんの自立、雇用、およびQOLを著しく損ない、総じて各国の医療システムの大きな負担になっています。米国では、外傷性脳損傷で入院し生存した患者さんの約43%が長期の運動機能障害を経験しており²、317万人が外傷性脳損傷に続発する運動機能障害を長期に抱えて生活していると推定されています³。また、日本における外傷性脳損傷(TBI)の患者数は約6万人⁴で、そのうち20%⁵は後遺症を伴うと推定されています。

損傷を受けた脳組織の自然回復は難しいと言われており、慢性期に入り運動麻痺が定着した患者さんは、日常生活や社会生活における影響を生涯に渡って抱えることとなり、未だ有効な治療法がないことから大きなアンメットメディカル・ニーズが存在しています。

2. 世界初の脳を再生する新たな治療薬(アクーゴ®)

アクーゴ®はそのようなアンメットメディカル・ニーズに応える治療薬として、世界に先駆けて日本で初めて条件及び期限付き承認され、世界初の脳を再生する治療薬が生まれました。アクーゴ®は、脳内の損傷した神経組織に移植することで、複数のタンパク質等が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する効果が期待されています。また、基礎試験の結果から、神経細胞の保護作用、血管新生促進作用、免疫調整作用が報告されています。

細胞治療薬は、主に自家(じか)と他家(たか)に分けられますが、他家細胞治療薬であるアクーゴ®は、細胞提供者(ドナー)から採取した細胞を大量培養して治療薬を製造するため、量産化が可能で

多くの患者さんへ治療薬を提供することができます。サンバイオは、創業時より未だ有効な治療手立てがない中枢神経系の疾患領域に注目し、脳梗塞や外傷性脳損傷といった多くの患者さんへ革新的な治療薬を届ける、ということをミッションに掲げて研究開発を行ってきました。

3. 今後の展望

日本において条件及び期限付き承認を取得したSB623慢性期外傷性脳損傷プログラムについては、国内での事業化に取り組んでいきます。今回の承認に伴う出荷に関する条件を達成するため、当社は今後速やかに2回程度の市販品製造を行います。出荷が可能となる時期については、2026年1月期第1四半期(2025年2～4月)を想定しています。また、本承認に向けた条件として7年間の製造販売承認の期限内に製造販売後臨床試験等を実施し、本承認を取得する計画です。

今回のアクトゴ®の条件及び期限付き製造販売の承認が取得できたという実績をもとに、今後はこれまでSB623慢性期外傷性脳損傷プログラムに集中させていた経営資源を、他の疾患への適応拡大や地域展開にも分配していく予定です。

まず第一に、国内SB623慢性期脳梗塞プログラムを優先的に進めていきます。脳梗塞は血栓が脳の血管に詰まるために引き起こされ、脳の神経細胞に十分な血液が供給されなくなる病気です。日本における脳梗塞の患者数は119万人⁶いると言われています。出来るだけ早期の治療が重要ですが、慢性期に入ると重い障害が定着する場合があります。慢性期の脳梗塞における治療には、再発予防のための薬物療法やリハビリテーションなどが行われますが、慢性期脳梗塞に伴う運動機能障害を根本的に治療する薬はないため、アンメットメディカル・ニーズは高いと考えられます。

地域展開については、米国SB623慢性期外傷性脳損傷プログラムを優先することを検討していきます。米国での外傷性脳損傷の患者数は 551万人⁷ほどいると考えられています。

なお、今回の承認が今期の業績へ与える影響については、軽微であると認識しています。

<出典>

¹James SL, et al. “Global, regional, and national burden of traumatic brain injury and spinal cord injury, 1990–2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016.” *Lancet Neurol* 2019;18:56–87.

²Selassie AW, et al. “Incidence of long-term disability following traumatic brain injury hospitalization, U.S.”, 2003. *J Head Trauma Rehabil* 2008;23:123–31

³Zaloshnja E, Miller T, Langlois JA, Selassie AW. Prevalence of long-term disability from traumatic brain injury in the civilian population of the United States, 2005. *J Head Trauma Rehabil.* 2008 Nov–Dec;23(6):394–400.

⁴厚生労働省患者調査 2020「19損傷, 中毒及びその他の外因の影響(頭蓋内損傷)」の患者数

⁵厚生労働省患者調査 2020「T905頭蓋内損傷の続発・後遺症」の患者数

⁶厚生労働省患者調査2020「脳梗塞」の患者数

⁷複数文献に基づく自社分析

本お知らせに含まれる将来に関する記述については、サンバイオが現在入手している情報に基づく予測等を基礎として記載されています。また、これらの記述のためには、一定の前提(仮定)を使用しています。これらの記述または前提(仮定)は主観的なものであり、将来において不正確であることが判明したり、将来実現しない可能性があります。このような事態の原因となりうる不確実性やリスクは多数ありますが、これらに関する追加情報については、サンバイオの決算短信、有価証券報告書をご参照ください。

以上



2024年7月31日
サンバイオ株式会社

「アクーゴ®脳内移植用注」(一般名:バンデフィテムセル)について、
外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善治療薬として
条件及び期限付き製造販売承認を取得
～世界初の脳を再生する治療薬～

サンバイオ株式会社(本社:東京都、代表取締役社長 森敬太、以下サンバイオ)は、ヒト体性幹細胞加工製品「アクーゴ®脳内移植用注」(一般名:バンデフィテムセル、以下アクーゴ®)について、本日2024年7月31日、厚生労働省より「外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善」を効能・効果として、日本における条件及び期限付き製造販売承認を取得したことをお知らせします。

外傷性脳損傷は交通事故や転倒などで頭部に外から強い力が加わり、頭蓋内の脳組織が傷つくことで起こります。外傷性脳損傷の症状の現れ方は多様であり、現れるまでの期間も患者さんによって違います。また、損傷を受けた脳の部位によって、運動機能障害、高次脳機能障害などの後遺症が生じる場合があることも特徴です。損傷を受けた脳組織の自然回復は難しいと言われており、慢性期に入り運動麻痺が定着した患者さんは、日常生活や社会生活における影響を生涯に渡って抱えることとなり、大きなアンメットメディカル・ニーズが存在しています。

アクーゴ®は、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺に対する有効性が確認され、世界で初めて承認された唯一の他家細胞治療薬*です。また、脳を再生する治療薬は世界初であり、実臨床の現場に提供できる製品として大きな意義があると言えます。アクーゴ®は健康なドナーの骨髄液から採取した間葉系幹細胞を培養した後、神経再生能力を高めるためのヒトNotch-1細胞内ドメイン遺伝子を導入して作られます。アクーゴ®を脳内の損傷した神経組織に移植することで、FGF-2(タンパク質の一種)等が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する効果が期待されています。また、基礎試験の結果から、神経細胞の保護作用、血管新生促進作用、免疫調整作用が報告されています。

代表取締役社長の森は次のように述べています。「創業24年を経て、この度アクーゴ®の条件及び期限付き承認取得をし、日本の外傷性脳損傷の患者さんへ新たな治療選択肢としてお届けできることを、大変嬉しく思います。脳内に直接投与することが可能なアクーゴ®は、慢性的な運動麻痺が定着した外傷性脳損傷の患者さんにとって、革新的で重要な選択肢の一つとなるでしょう。アクーゴ®を通じて、一人でも多くの外傷性脳損傷の患者さんの治療生活に希望をもたらすことを願っています。」

今回の承認は、サンバイオが実施した国際共同第Ⅱ相臨床試験に基づくものであり、治験を主導された東京大学脳神経外科教授 齊藤延人先生は次のように述べています。「外傷性脳損傷は脳の様々な部位で発生し、その損傷部位や程度などによって症状や重症期間、後遺症が決まります。急性期のリハビリテーションに一定の機能回復の効果があるものの、一般的には損傷した脳は再生しないことから、これまで慢性期の運動麻痺などの後遺症に対する有効な治療選択肢はありませんでした。アクーゴ®の承認は、このような慢性期の後遺症に苦しむ患者さんにとって新たな治療選択肢を提供する可能性があり、今後のさらなる調査分析の進捗を期待しています。」

(参考)プレスリリース

外傷性脳損傷における研究の第一人者である米国ピッツバーグ大学脳神経外科教授/ 神経外傷臨床試験センター長であるデイビッド・O・オコンコー博士は次のように述べています。“Patients with chronic traumatic brain injury experience lifelong disability affecting quality of life, particularly those with motor deficits. Living with traumatic brain injury also places burdens on the caregivers who support them. The approval of AKUUGO is a breakthrough and opens a new chapter in the treatment of motor deficits in chronic traumatic brain injury.” (参考和訳:「外傷性脳損傷の患者さん、特に運動麻痺のある患者さんはQOLに影響を及ぼす障害を生涯にわたって経験します。外傷性脳損傷とともに生きることは、彼らを支える介護者の手も必要とします。この度のアクーゴ[®]の承認は一つのブレークスルーであり、外傷性脳損傷に伴う運動麻痺の治療の新たなページを開くと考えています。)」

サンバイオを長年支えてきた創業科学者である慶応義塾大学教授 岡野栄之先生は次のように述べています。「サンバイオは20年以上に渡り、脳の再生医療の分野で研究開発を続けてきました。このたび、アクーゴ[®]が慢性期外傷性脳損傷における運動麻痺の治療薬として初めて承認され、日本の患者さんへ新たな治療選択肢としてお届けできることを嬉しく思います。日本で初めてアクーゴ[®]の承認を取得したことで、未だ有効な治療法がなくお困りの中枢神経系の脳疾患のある世界中の患者さんを支えることを目標とする私たちの歩みが前進しました。」

参考情報

製品概要

販売名	アクーゴ [®] 脳内移植用注
一般名	バンデフィテムセル
効能・効果	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善
用法・用量	通常、成人にはヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞として、生細胞 5×10^6 個(300 μ L)の細胞調製液を、専用投与機器セットを用いた定位脳手術により、損傷した組織の周辺部に移植する。 頭蓋骨の小孔1箇所を通り損傷周辺部に至る3つの移植経路から、1移植経路あたり細胞懸濁液100 μ Lを最深部から5 ~6 mm間隔で5箇所、1箇所あたり20 μ L移植する。注入速度は約10 μ L/minとする。移植に際しては、以下を行うこと。 1. 手術開始前に脳神経外科用侵襲式頭部固定具に専用投与機器セットのガイド&ストップ、スタイレットを備えたインサーターを取り付ける。 2. 脳内移植用細胞剤を融解し、専用調製液を用いて洗浄した後、移植濃度 1.67×10^6 個/100 μ Lになるように専用調製液で調製し、細胞懸濁液とする。専用投与機器セットの投与カニューラを固定したマイクロシリンジを専用調製液により清浄化した後、細胞懸濁液を充填する。
製造販売承認取得日	2024年7月31日

(参考)プレスリリース

製品画像



脳内移植用細胞剤バイアル



ドライシッパー



輸送用ハードケース及びドライシッパー



専用調整液



専用調整液外箱



専用投与機器セット



専用投与機器セット外箱

[承認条件]

1. 本品の製造実績が限られていることを踏まえ、あらかじめ定めた計画に基づき、本品の品質に関する情報を速やかに収集するとともに、治験製品と本品との品質の同等性／同質性を評価し、結果を報告すること。また、当該結果を踏まえ、必要な承認事項一部変更承認申請を行うこと。承認事項一部変更承認申請が承認されるまでの間、本品の出荷を行わないこと。
2. 緊急時に十分対応できる医療施設において、外傷性脳損傷の診断・治療及び定位脳手術手技に十分な知識・経験を持つ医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、本品が使用されるようにすること。
3. 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと。
4. 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中、本品の作用機序を反映する生物学的特性に関する情報を収集し、品質管理戦略の改良等の必要な措置を講じること。

***他家細胞移植について**

再生医療における治療は、主に自家(じか)細胞と他家(たか)細胞の移植に分けられます。自家細胞移植は、患者さん本人の細胞を採取して用いる治療法ですが、細胞処理に手間と時間がかかります。他家細胞移植は、細胞提供者(ドナー)から採取した細胞を、大量培養して用いる治療法です。量産化が可能のため、多くの患者さんを治療することができます。

外傷性脳損傷について

外傷性脳損傷は、世界中の主な死因および障害の原因の一つです。2016年の世界の急性外傷性脳損傷の新規患者数は2,700万人(推定)、外傷性脳損傷に続発する慢性障害の患者数は5,550万人(推定)でした¹。外傷性脳損傷および外傷性脳損傷に続発する長期に渡る運動機能障害は、患者の自立、雇用、およびQOLを著しく損ない、総じて各国の医療システムの大きな負担になっています。米国では、外傷性脳損傷で入院し生存した患者の約43%が長期の運動機能障害を経験しており²、317万人が外傷性脳損傷に続発する運動機能障害を長期に抱えて生活していると推定されています³。また、日本における外傷性脳損傷(TBI)の患者数は約6万人⁴で、そのうち20%⁵は後遺症を伴うと推定されています。

アクーゴ[®]脳内移植用注について

アクーゴ[®]脳内移植用注は、健康成人骨髄液由来の間葉系間質細胞を加工・培養して作製されたヒト(他家)骨髄由来加工間葉系幹細胞(国際一般名:バンデフィテムセル)です。脳内の損傷した神経組織に移植するとFGF-2(タンパク質の一種)が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する効果が期待されています。今回の承認は、サンバイオが実施した国際共同第Ⅱ相臨床試験に基づくものであり、本試験において主要評価項目の24週目におけるFMMS(Fugl-Meyer Motor Scale)のベースラインは、アクーゴ[®]投与群が8.3点に対しコントロール群が2.3点の改善量であり、アクーゴ[®]投与群が統計学的に有意な結果を示しました。本試験の最終解析結果は、米国神経学会(American Academy of Neurology)でも発表されました。慢性期脳梗塞を含む複数疾患を対象に研究・開発を進めています。

サンバイオについて

サンバイオは、再生細胞薬の研究、開発、製造及び販売を手掛ける再生細胞事業を展開しています。主要開発品SB623であるアクーゴ[®]脳内移植用注について、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善を適応として、2024年7月先駆け指定制度のもとで条件及び期限付き製造販売承認を取得致しました。今後も、既存の

(参考)プレスリリース

医療・医薬品では対処できず、アンメットメディカル・ニーズが高い中枢神経系領域の疾患を主な対象として研究開発及び事業化を行ってまいります。東京に本社、カリフォルニア州に子会社を置くサンバイオグループの詳細は、

<https://www.sanbio.com>にてご覧いただけます。

< 出典 >

¹James SL, et al. “Global, regional, and national burden of traumatic brain injury and spinal cord injury, 1990–2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016.” Lancet Neurol 2019;18:56–87.

²Selassie AW, et al. “Incidence of long-term disability following traumatic brain injury hospitalization, U.S.”, 2003. J Head Trauma Rehabil 2008;23:123–31

³Zaloshnja E, Miller T, Langlois JA, Selassie AW. Prevalence of long-term disability from traumatic brain injury in the civilian population of the United States, 2005. J Head Trauma Rehabil. 2008 Nov-Dec;23(6):394–400.

⁴厚生労働省患者調査 2020 「19 損傷, 中毒及びその他の外因の影響(頭蓋内損傷)」の患者数

⁵厚生労働省患者調査 2020 「T905 頭蓋内損傷の続発・後遺症」の患者数

本件に関するお問い合わせ先

サンバイオ株式会社

経営管理部

メール: info@sanbio.com