

＜膵液中エクソソーム由来microRNAを用いた膵癌診断薬の開発＞

-SCORE大学推進型(起業環境整備型)-

研究代表者氏名:古賀 浩徳



Agenda

- 01_技術の概要と利点
- 02_想定市場(規模)と市場の関心
- 03_技術開発と知財の状況
- 04_市場参入障壁・競合状況
- 05_事業提案(事業計画)





01_技術の概要と利点

✓ イントロダクション

- ✓ 増加する膵癌:年間新規患者 約41,000例(本邦)
- ✓ 高い致死率:5年生存率はわずか9%(本邦)
- ⇒ 膵癌の早期診断法の開発が喫緊の課題

✓ 提案する技術・サービス

- ✓ 膵癌細胞から分泌されるエクソソーム由来のmicroRNA (miR)を用いて膵癌特異的な生化学的・遺伝学的情報を得る。
- ⇒ 膵癌患者の膵液エクソソームから同定した膵癌特異的miR(2種)を、膵液や血清を用いた早期診断に展開する。

✓ 革新性・優位性

- ✓ 「膵癌患者膵液」と「膵癌細胞上清」に共通するmiRから「良性膵疾患患者膵液」のmiRを除外し、感度・特異度を高めた (Fig. 1)。
- ✓ 細胞診への上乗せ効果がある (Fig. 2)。
- ✓ 同定したmiRは血清からも検出可能であり、治療後のモニタリングへの応用も期待できる(後述)。
- ✓ 特許出願(国際特許)済み(後述)
「膵臓がんのバイオマーカーとしてのマイクロRNAの使用」

Fig. 1 高い感度・特異度(膵液)

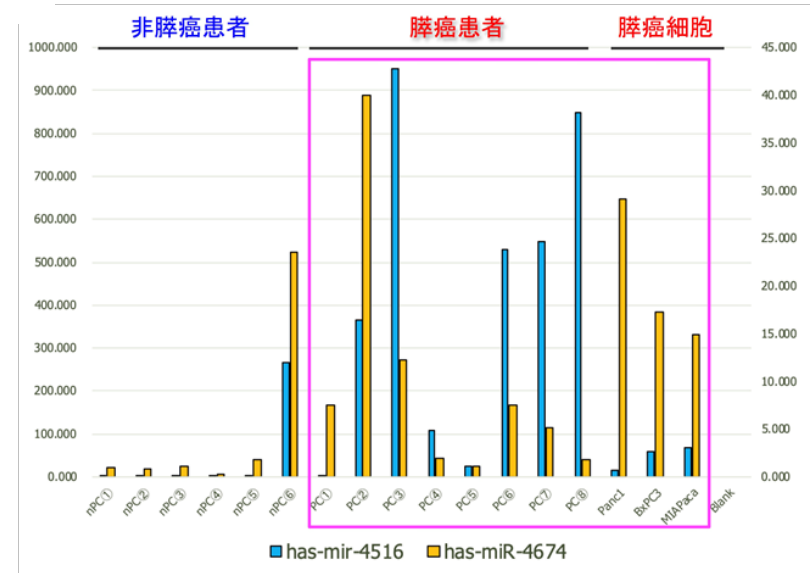


Fig. 2 膵液細胞診との組み合わせ

| | 感度 (%) | 特異度 (%) | 正診率 (%) |
|-------------------|--------|---------|---------|
| miR-4516 | 80.0 | 81.8 | 80.8 |
| miR-4674 | 73.3 | 81.8 | 76.9 |
| miR-4516/4674 | 93.3 | 72.7 | 84.6 |
| 細胞診 | 81.8 | 100 | 90.9 |
| miR-4516+細胞診 | 93.3 | 81.8 | 88.5 |
| miR-4674+細胞診 | 100 | 81.8 | 92.3 |
| miR-4516/4674+細胞診 | 100 | 72.7 | 88.5 |

02_想定市場(規模)と市場の関心

✓ 社会的課題やニーズ

- ✓ 早期発見が困難で、予後不良の疾患とされている
- ✓ 画像診断の進歩により、早期診断例増えるも不十分
- ⇒ 健康診断や人間ドックでのスクリーニング
- ⇒ 検診や他科診療で指摘された膵管異常の精査
- ⇒ 膵癌治療患者のモニタリング

✓ ターゲットリスト(検査方法・検査薬のノウハウがある企業)

- ✓ 国内大手・中堅製薬企業: 候補3-4社(一部接触済)
- ✓ 検査機器試薬企業: 候補1-2社
- ✓ 国内大手・中堅検査会社: 候補3-4社

✓ ヒアリング調査結果

- ✓ 特異性のあるバイオマーカーであり、早期診断が可能となる可能性が高い。
- ✓ 細胞診や画像診断と組み合わせることで、正診率の向上が期待できる。

✓ 提供する技術・サービスの顧客評価・コメント

- ✓ 特異性が高く、早期診断に効果的な技術となる可能性ある(国立大学病院 医師)
- ✓ 膵癌患者の予後の改善に期待する(私立大学病院 医師)

✓ 想定市場(規模:国内市場として)

- ✓ 検査料を4万円、検査薬の価格を特許使用料(4%:1,600円)をベースに想定した。

①人間ドックや健康診断(350万件)の半数(50%)に実装
⇒ $350 \times 0.5 = 175$ 万件

②入院・外来患者のべ850万人、うち2割程度に実装
⇒ $850 \times 0.2 = 170$ 万件

- ✓ ①②合計345(175+170)万件/年
 - ➔市場規模(4万円×345万件): 1,380億円
 - ➔売上規模(1,600円×345万件): 55.2億円

- ✓ 膵液診断のみ25万件/年
 - ➔市場規模(4万円×25万件): 100億円
 - ➔売上規模(1,600円×25万件): 4億円

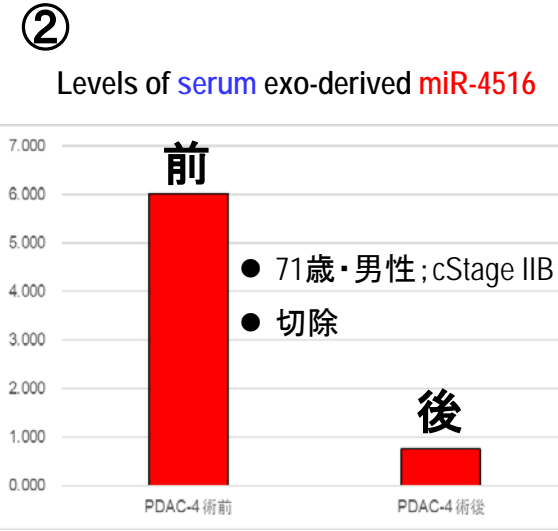
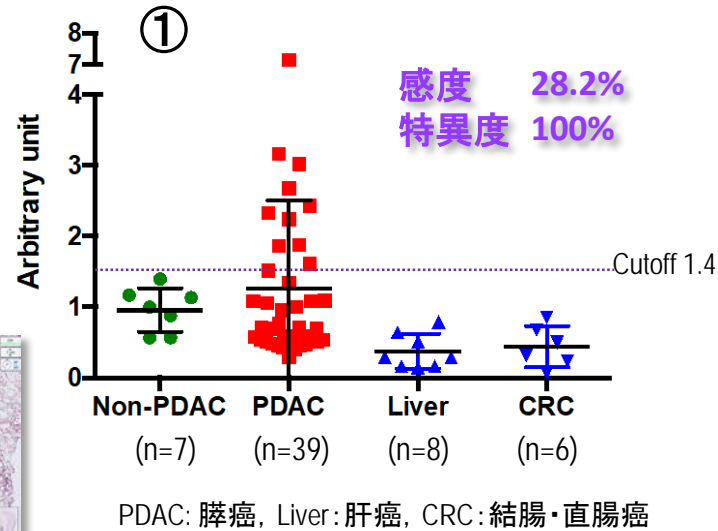
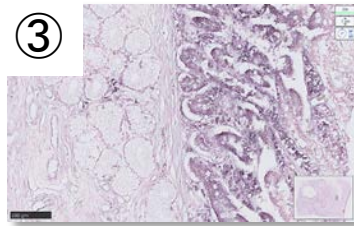




03_技術開発と知財の状況

✓研究開発状況

- ①膵癌血清診断における感度・特異度の確立
(追加サンプルの収集を行い、膵癌特異的miRを測定)
- ②治療モニタリングへの応用も含めた感度・特異度の検証
- ③ISHによる膵癌組織におけるmiR-4516発現の確認



✓今後必要な研究開発

- ✓高リスク患者群に対する膵液miR診断の確立
- ✓健診や人間ドックレベルでの血清miR診断の確立
- ✓膵癌患者治療モニタリング応用に向けた血清miR診断の確立

✓知財出願状況⇒1件特許出願(国際出願)済み

発明の名称:膵臓がんのバイオマーカーとしてのマイクロRNAの使用
出願番号:PCT/JP2021/02597
出願日(優先日):2020年7月16日
出願人:学校法人久留米大学
発明者:古賀浩徳、阪上尊彦、岩本英希、岡部義信、鳥村拓司

✓知財戦略

- ✓特許について、同定したmiRの物質特許としての権利化を目指す。
- ✓検査受託機関含めた企業との共同開発等を目指し、マーケット戦略として日本、米国、欧州、中国を視野に入れた特許権利化。
- ✓技術移転先の企業やベンチャーへ特許をライセンスアウト。
- ✓臨床試験サンプル含めた臨床データも強固な知的財産としての活用が期待。

04_市場参入障壁・競合状況

✓ 市場分析(社会面、経済面、技術面、製造面、市場面)

- ✓ 早期診断ニーズの高まり(膵癌の5年生存率約9%)
- ✓ がんバイオマーカー市場は世界的に**拡大傾向**
- ✓ **膵癌特異的**なバイオマーカーの研究盛ん(国内・海外)
- ✓ バイオマーカーに対するFDAなど当局の対応も活性化
- ✓ miRの測定方法が確立

✓ 商業化への課題

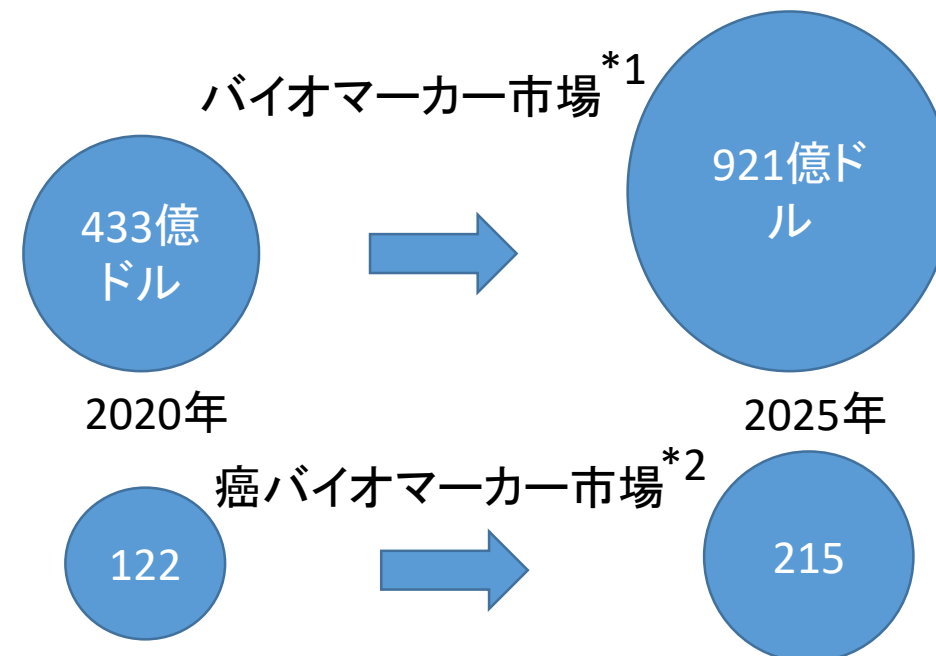
- ✓ **膵液**miR診断の確立(高リスク患者)
- ✓ **血清**miR診断の確立(検診、人間ドック、膵癌治療患者)

✓ 国内外動向を踏まえた類似技術・先行技術の状況

- ✓ テオリアサイエンス(東京医大 落合先生)
- ✓ 新規環状RNAの膵癌バイオマーカー応用(東大医)
- ✓ 膵液中エクソソームによる新規診断法(東北大医)

✓ 競合比較(強み、弱み) ⇒ SWOT分析 (Table 2)

- ✓ 強み: **膵癌特異性**
血清中でも測定可能
- ✓ 弱み: 検査方法・検査薬の経験値がない



*1: Biomarkers: Technologies and Global Markets (ResearchStation, LLC)

*2: Global Cancer Biomarket Size Study 2020-2027 (Bizwit Research & Consulting LLP)

Table 2. SWOT分析

| | |
|--|---|
| Strength <ul style="list-style-type: none"> 膵癌特異性が高い 血清中でも測定可能 試験サンプルの入手容易 | Weakness <ul style="list-style-type: none"> 検査方法・検査薬の経験値がない |
| Opportunity <ul style="list-style-type: none"> 早期診断のニーズ↑ 世界的なバイオマーカー市場の拡大 | Threat <ul style="list-style-type: none"> 類似技術の台頭 |

05_事業提案(事業計画)

✓ビジネスプラン・将来性等

1. 膵液ならびに血清中のエクソソーム由来miRによる膵癌診断法を確立する。
2. 検査方法や検査薬(キット)の開発は、検査機器試薬会社等この分野で経験値を有する企業との共同開発等を行う。
3. 将来的に国内市場のみならず癌バイオマーカー市場のコアと考えられる米国や欧州市場への参入を検討する。

✓今後の方向性(商業化のためのアクションリスト)

- ✓ 膵液及び血清中のエクソソーム由来miR、特に血清中でのmiR測定技術を確立する。
- ✓ 検査機器試薬会社等この分野の経験値が高い企業を選定(調査継続中)し、共同開発の可能性を確認する。
- ✓ 将来的な海外進出を目指し、米国および欧州の拠点に国内市場のみならず癌バイオマーカー市場のコアと考えられる米国や欧州市場への参入するための検討を開始する。

✓資金調達計画

