



注:本資料は Cynata Therapeutics Limited が作成した投資家向け説明資料の日本語訳であり、参考資料として提供するものです。  
その内容および解釈については英文資料が優先されます。

# 次世代幹細胞治療企業

投資家向け説明会:Cynata Therapeutics Limited

平成30年11月

# 重要情報

---

本プレゼンテーションは、本資料の発表日現在入手可能な情報に基づきCynata Therapeutics Limited(「Cynata」または「当社」)が作成したものである。本資料に記載されている情報は、サマリー情報として記載されているものであり、投資判断に必要な情報をすべて含んでいるものではない。

本プレゼンテーションは、Cynata Therapeuticsの証券の購入または販売に関する招請、勧誘または推奨を行うためのものではなく、金融商品に関する助言を行うものでもない。また、個人の投資目的、課税状況、財務状況またはニーズを考慮していない。投資家は、本プレゼンテーションに含まれるいかなる事項にも基づいて行動してはならず、Cynata Therapeuticsについて独自の評価を行い、また調査を行う必要がある。投資判断を行う前に、投資家は、自らの目的、財務状況、ニーズを考慮した上で、情報の適切性を検討し、自らの法域や状況に応じた法的、税務、財務的助言を受ける必要がある。Cynata Therapeuticsは、その証券またはその他の金融商品に関して金融商品のアドバイスを提供するライセンスを受けておらず、クーリング・オフの権利はCynata Therapeuticsの証券の取得には適用されない。

本プレゼンテーションに記載された事実が正確であり、表明された意見が公正かつ合理的であることを保証するために合理的な注意が払われているが、本プレゼンテーションに記載された情報、意見および結論の公正性、完全性または正確性に関して、明示的または黙示的な表明または保証は行われていない。Cynata Therapeutics、その役員、取締役、従業員および代理人、その他のいかなる関係者も、法律で認められている最大限の範囲内で、このプレゼンテーションに含まれる情報の使用または信頼に起因する損失、またはそれに関連して発生した損失に対して、一切の責任を負わないものとする。

本プレゼンテーションで提示された情報は、予告なしに変更されることがあり、Cynata Therapeuticsは、本プレゼンテーション日後に発生した、本プレゼンテーションで言及された事項に影響を及ぼす可能性のある事項について、通知する責任または義務を負わない。

本プレゼンテーションの配布は法律により制限される場合があり、その制限を遵守する必要がある。

## 将来予想に関する記述

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではない。将来予測に関する記述には、Cynataの実際の業績が、将来の見通しに関する記述によって明示または暗示された業績予想と大きく異なる可能性があり、既知または未知のリスク、不確実性およびその他の要因が含まれます。このような将来の見通しに関する記述は、当社の現在および将来の事業戦略および今後の政治的および経済的環境に関する多数の前提に基づいており、予告なしに変更される可能性があります。過去の業績は必ずしも将来の業績の指針とは言えず、将来の見通しに関する記述やその他の予測の達成可能性や妥当性についての表明や保証は一切行われていません。Cynataおよびその取締役、役員、従業員、顧問、代理人および代理人は、本プレゼンテーションに含まれる情報(プレゼンテーションに記載されている前提または期待事項、またこれらに限定されない情報)の変更を反映するために、情報の更新または改訂を公表する義務または約束を放棄する。

 2018年 ハイライトと戦略

# 会社概要

## 会社概要

Cynata Therapeuticsは、オーストラリア証券取引所に上場している臨床段階のバイオテクノロジー企業であり、破壊的再生医療を開発している。

## 財務・会計情報

株価(2018年11月7日)	A\$1.13
52週安値/高値	A\$0.56/A\$1.58
発行済株式 <sup>1</sup>	100.8m
<b>時価総額</b>	<b>A\$114m</b>
現金(2018年9月30日現在)	A\$10.9m
負債(2018年9月30日現在)	-
<b>企業価値</b>	<b>A\$103m</b>

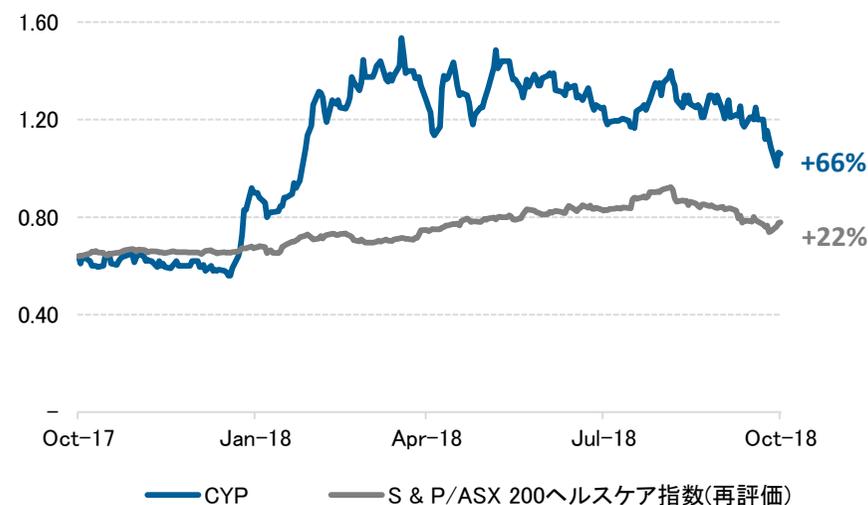
注: A\$1 = ¥82

出所: IRESS

(注)

- 行使価格が0.53~1.50ドルで、2019年2月22日から2020年8月4日までの期間(権利確定条件を条件とする100万ドル)の未上場オプションを除く。
- 取締役会と経営陣が保有するすべてのオプション(合計2.7百万円)が行使された場合の株式保有を表す。

## 株価の推移(過去12カ月、豪ドル)



## 筆頭株主

### 株主

フィデリティ・インターナショナル 9.4%

富士フイルム株式会社 8.0%

取締役会と経営陣 6.1%

取締役会および経営陣(潜在株式調整後) 8.6%

# 投資の状況: フェーズ II 進行予定のバイオテック企業。 商業用に適う量のMSCをスケーラブルに製造する専有プラットフォームを有している。

<p>スケーラブルで、 世界的に適用可能な技術</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ CymerusTMプラットフォームは、高品質の間葉幹細胞を大規模に生産することを可能にする。</li> <li>▪ 完全に特許化されたプロセスにより、現在市場で生じている多くの問題を克服する。</li> </ul>
<p>GvHD向けの 第 I 相試験の優れた結果</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ すべての試験エンドポイントが達成された:有害事象はなく、有効性は非常に期待できる</li> <li>▪ GvHDプログラムはフェーズ II への進展に向けて良好なポジションにある</li> <li>▪ 安全性データにより、Cynataは他の適応症向けの第II相試験に直接移行することができる</li> </ul>
<p>ポテンシャルの高いターゲット 領域の明確なパイプライン</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 拡大試験パイプラインの優先適応領域として特定された心血管疾患</li> <li>▪ 進行中の重症四肢虚血(CLI)における第 II 相計画</li> <li>▪ 他の高価値標的領域に対して説得力のある前臨床データ</li> </ul>
<p>前進臨床プログラムへの十分な 資金提供</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 9月18日現在の現金残高は1090万ドル。5月30日から5月18日にかけて機関投資家フィデリティ・インターナショナルに520万ドルの株式を売出したことで補強された</li> <li>▪ フィデリティ: 第一位株主(~10%)</li> </ul>
<p>魅力的なパートナーシップを持つ ビジネスモデル</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 富士フイルムがGvHDのライセンスオプションを保有-今後の開発・商業化の費用全額+マイルストーン支払額60百万ドル+ロイヤルティ(行使した場合)を支払う</li> <li>▪ 探索中の他の適応症に関するライセンス契約および戦略的パートナー</li> </ul>
<p>価値があり、 活発な市場</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ GvHDおよびCLI製品のためのMSCサプライヤーにとって推定17億ドルの収益機会</li> <li>▪ 850以上の臨床試験で多数の適応症にわたってMSCの有効性を調査している</li> <li>▪ 幹細胞M&amp;Aに積極的な製薬企業は複数ある</li> </ul>

Cynataは世界で唯一、単一の供給源から市販の量の間葉幹細胞 (IPSC)を生産するためのプラットフォームを有している。

## 現在、市販のMSC製造には多くの欠点がある

### 規制問題

- × 複数のドナーから細胞を調達することは、供給された細胞の多様性につながり、これが主な規制上のハードルとなっている。

### 有効性の低下

- × 治療用に十分な細胞を作り出すためには、大量の細胞増殖が必要であり、その結果、効力が低下する可能性がある。

骨髄からMSCを採取するために必要な手術



複数のドナー



複雑な手術



細胞の増殖



## 特許を取得した Cymerus プラットフォーム

### ✓ 製品品質の安定化

単一ドナーは規制上のハードルを克服する

### ✓ 製剤の有効性維持

Cymerusは過剰な拡張の必要がない

Cymerus プラットフォームの詳細については、Cynata のウェブサイトをご覧ください。



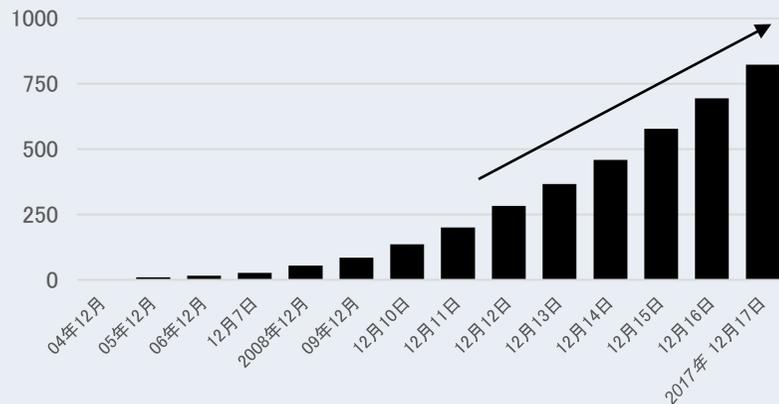
MSCは非常に強力な幹細胞である。現在臨床的に大きな関心を集めており、スケラブルな市販へ向けての解決策が必要である。

間葉幹細胞(MSC)は修復と再生に重要な役割を果たすと考えられている

- ✓ 免疫系の調節因子
- ✓ 生体活性分子を分泌し、免疫抑制および免疫調節特性を有する

疾病の治療におけるMSCの有効性を調査する850件以上の臨床試験<sup>1</sup>

MSC臨床試験数(累計)



- ✓ MSCは2015年9月に日本で、2018年3月に欧州で治療薬として承認された。

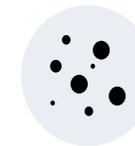
MSC治療の恩恵を受ける可能性のある複数の標的領域を有する世界的な商業的可能性



糖尿病合併症



糖尿病性足潰瘍



GVHD



瘻孔



ぜんそく



急性呼吸窮迫



脳がん/膠芽腫



変形性関節症



重症下肢虚血



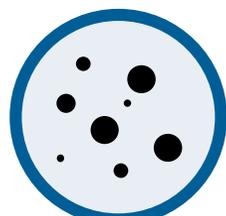
クローン病



心臓発作

Cynataの目標は、満たされていない臨床的ニーズが高い領域において、  
新世代の強力な同種MSC細胞治療薬を開発することである

## フェーズ I 完了、フェーズ II 計画中



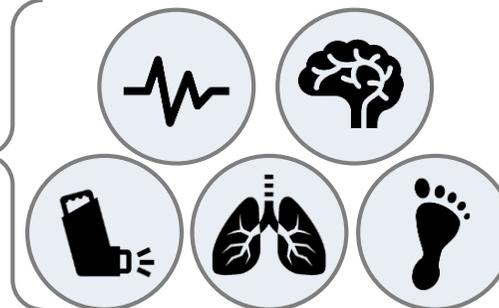
移植片対宿主  
病

✓ 富士フィルムライセンスオプション

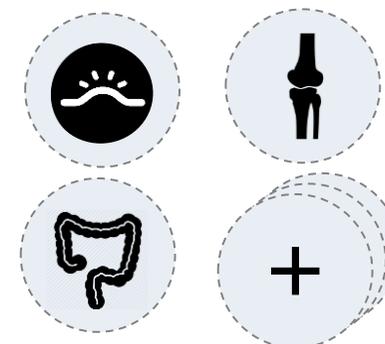
✓ 使用可能なライセンス

**「ハブ&スポーク」ビジネスモデル**  
価値を最大限に引き出すために、Cymerusテクノロジー  
をさまざまなターゲット分野へライセンス供与する

## 前臨床データ



## 今後の対象分野



## 進行中のフェーズ II 計画



重症下肢虚血

✓ 使用可能なライセンス

✓ 使用可能なライセンス

GvHD試験が成功した後、新たな  
適応症向けに第II相試験へ  
進行する

## 2 移植片対宿主病(GvHD)の臨床試験

# 試験データ | CynataのMSCとCymerusプラットフォームの明確なバリデーションとなる、第1相GvHD臨床試験での優れた結果

Cynataは、患者のQOLに対する安全性と有意義な影響を実証する第1相臨床試験を成功させた。

## ✓ すべてのエンドポイントを達成

	コホートA (28日間)	コホートB (28日間)	プール (28日間)	コホートA (100日間)	コホートB (100日間)	プール (100日間)
安全	✓ 安全性の問題/治療に関連する有害事象は観察されなかった					
完全奏功率	✓ 13%	✓ 57%	✓ 40%	✓ 50%	✓ 57%	✓ 53%
全奏効率	✓ 75%	✓ 86%	✓ 80%	✓ 100%	✓ 86%	✓ 93%
全生存率 <sup>1</sup>	✓ 88%	✓ >=86%	✓ >=87%	✓ 88%	✓ >=86%	✓ >=87%

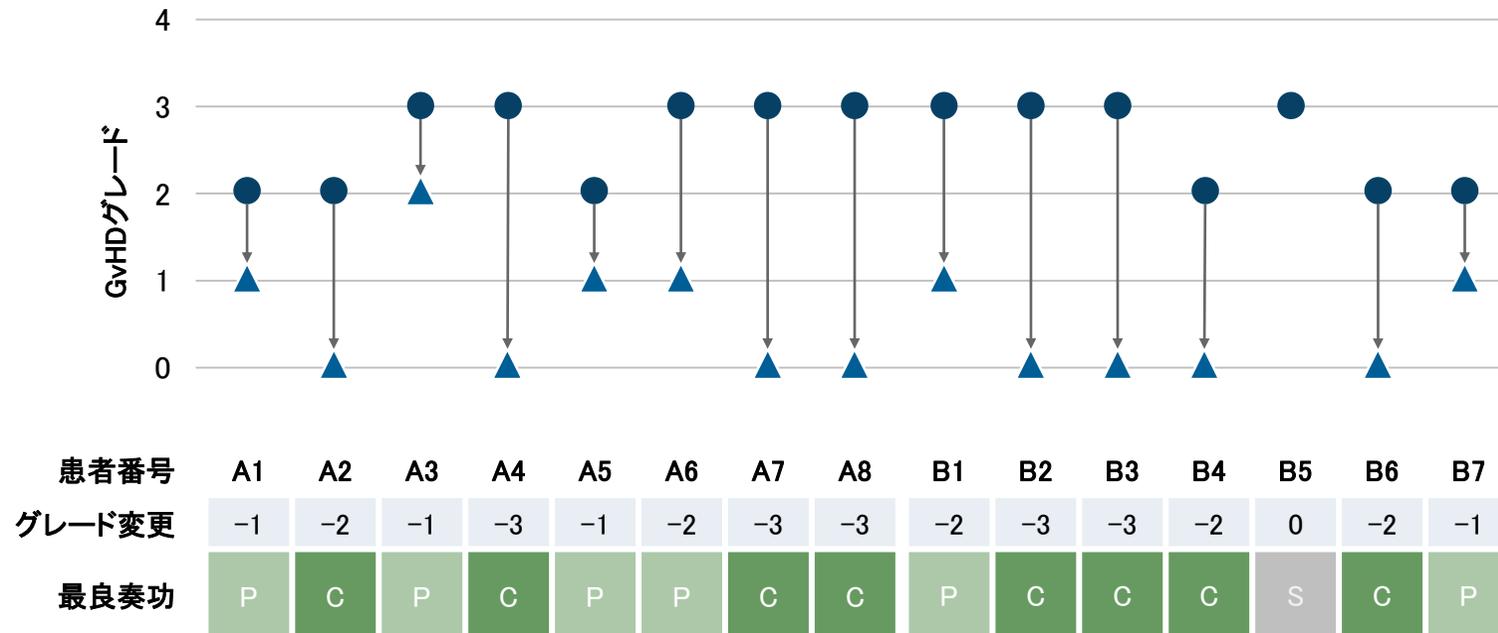
ステロイド非反応性GvHD患者の予後は一般に不良で、死亡率は90%<sup>2</sup>を超える。

1. コホートAの1例は肺炎(治療とは無関係)で死亡し、コホートBの1例は緩和ケアを開始するために22日目に試験を中止した。

# 試験データ | GvHDグレードが大幅に改善し、大多数の患者が完全奏効を報告した

## 第 I 相臨床試験データ

総合効果: 14/15 (93%); 完全奏効: 8/15 (53%)



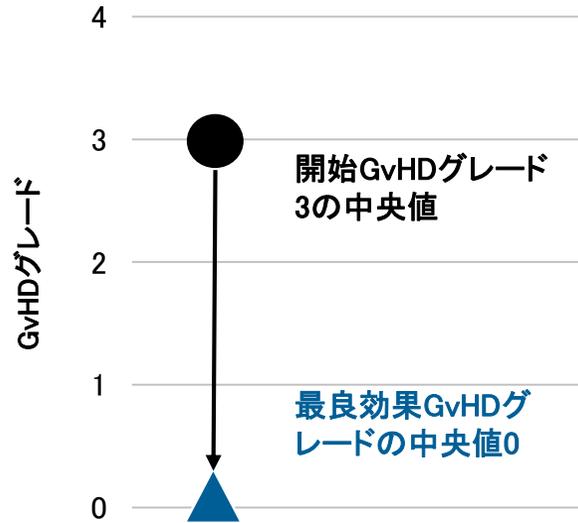
### 表示

- GvHDグレード:0日目
- GvHDグレード:最良奏功
- 完全奏効\*
- 部分奏効\*
- 病状の安定

# 試験データ | 3億ドル市場<sup>1</sup>の生命を脅かす重症疾患領域において、今回の奏効率は有意義な改善を意味する。

## 試験結果:奏功の中央値

GvHDグレードの大幅改善



## GvHDグレードスケール<sup>3</sup>

皮膚、肝臓、および消化管の病期の組み合わせに基づくGvHDの総合悪性度

ステージ	皮膚病期 罹患した体表面積のパーセント	肝臓ステージ ビリルビン (mg/dl)	消化管期 便量(ml/日)
4	皮膚剥離で50%を超える または水疱形成	$\geq 15.0$	$> 1,500\text{mL}$ および重度の腹痛(イレウスを伴うまたは伴わない)
3	$>50\%$	6.0 – 14.9	$> 1,500\text{mL}$
2	25–50%	3.0 – 5.9	1,000 mL – 1,500 mL
1	$<25\%$	2.0 – 2.9	500mL–1,000mL (または持続性の食欲不振、 吐き気と嘔吐)
0	0%	$< 2.0$	$\leq 500\text{ml}$

GvHDは、すでに罹患し、移植を必要とする患者に影響を及ぼす壊滅的な疾患である  
GvHDのわずか1グレードの変化でも、患者のQOLに有意な影響を及ぼす

# 試験データ|第1相GvHD試験は、CynataのMSCの安全性を実証し、有効性の評価を支持している。

## GvHDとは?

移植片対宿主病(GVHD)とは、移植においてドナーの免疫細胞を移植した後に、患者の組織(宿主)に対する抗体を作り、重要な臓器を攻撃する状態のことである。最も多く罹患する臓器には、皮膚、消化管(消化管)および肝臓がある。

## GvHD臨床試験の概要

### 世界初の同種iPSC由来細胞療法臨床試験

臨床試験プロトコル	CYP-GvHD-P1-01
人口	ステロイド耐性急性GvHDの成人15例
臨床施設	7 (イギリス、オーストラリア)
終点	<ul style="list-style-type: none"><li>安全性及び忍容性(一次性)</li><li>28日目/100日目までの完全奏効/部分奏効<ul style="list-style-type: none"><li>Complete response = absence of GvHD</li><li>部分奏効=少なくとも1グレードの改善</li></ul></li><li>28日目/100日目の全生存率</li></ul>
現状	<ul style="list-style-type: none"><li>コホートA - 投与は2017年11月に完了し、最終的な100日間の読取りは2018年2月に完了した</li><li>コホートB - 投与は2018年5月に完了し、最終的な100日読取りは2018年9月に完了した。</li></ul>

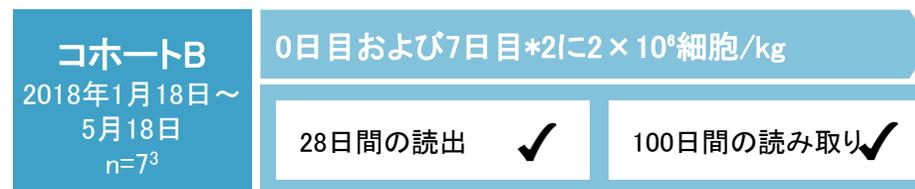
## 治験デザイン

### 抽出基準

- ステロイド耐性急性GvHDの成人
- 平均余命1カ月以上
- 結果に影響を及ぼす可能性のある他の条件をスクリーニングした



データ安全性モニタリング委員会(DSMB)はコホートAの28日間のデータを評価し、コホートBの開始を承認した



✓ **試験終了**



## 3 事業環境とCynataの将来

細胞療法は、製薬企業のM&Aへの大きな関心を集める活発な市場である。

米ドル  
307M



取得者



2015年3月

- Cellular Dynamics社との技術融合により、新たなiPSC細胞治療薬の開発を可能に
- Cellular Dynamicsの創設者もCynataを設立

米ドル  
379M



取得者



2016年2月

- 細胞医療のリーディングポジションの確立
- 買収前のオカタのCEOは、現Cynata会長のPaul Wotton氏

米ドル  
628M



取得者



2018年1月<sup>1</sup>

- タケダとTiGenix社との提携により、Cx601(ダルバドストローセル)の開発・販売を開始
- TiGenix社は、欧州でMSC療法の承認を初めて取得した企業である。

Cynataは明確な科学的・商業的ビジョンに基づき行動し、株主価値を最大化するための道筋を継続的に評価している。

## 株主価値を創造するさまざまなオプション

プラットフォームで独自に価値を創造する  
(臨床試験の継続等)

大手製薬会社と特定のターゲット領域を  
開拓するライセンス・パートナー  
(富士フィルムの既存のGvHDオプションなど)

戦略的撤退・合併  
(戦略的買収者など)

富士フィルムは、GvHD用のCynata社のMSCの開発および商業化のためのライセンスオプションを保有している。

### 富士フィルムオプションの行使(3百万米ドル)

富士フィルムは第1相試験終了後90日まで行使できる。

行使されれば、Cynataは 目標達成報酬として300万米ドルの契約一時金を受け取る

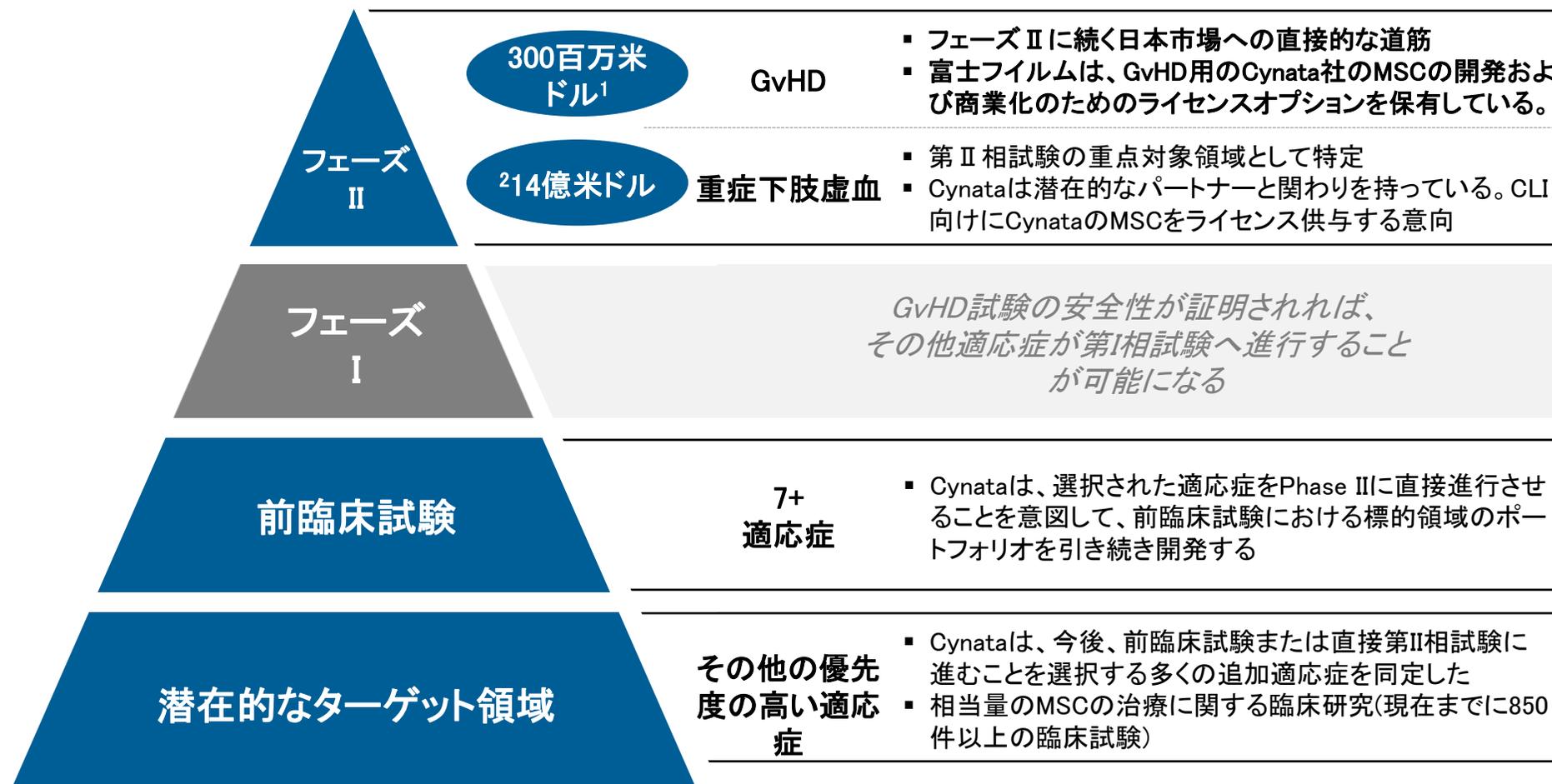
富士フィルム今後の開発活動とコストを担う

### フェーズ2以上(潜在的30百万米ドル+p.a.)

- 富士フィルムはCynataに対し、合意したマイルストーン(60百万ドル以上)および製品販売に対する2桁のロイヤルティを支払うことで合意した
- 富士フィルムのGvHD市場予測によると、富士フィルムの売上高見通しが達成されれば、Cynataのロイヤルティは年間30百万米ドルを超えるという。

# 強力な臨床パイプラインとプログラムがCynataの商業目的を支援

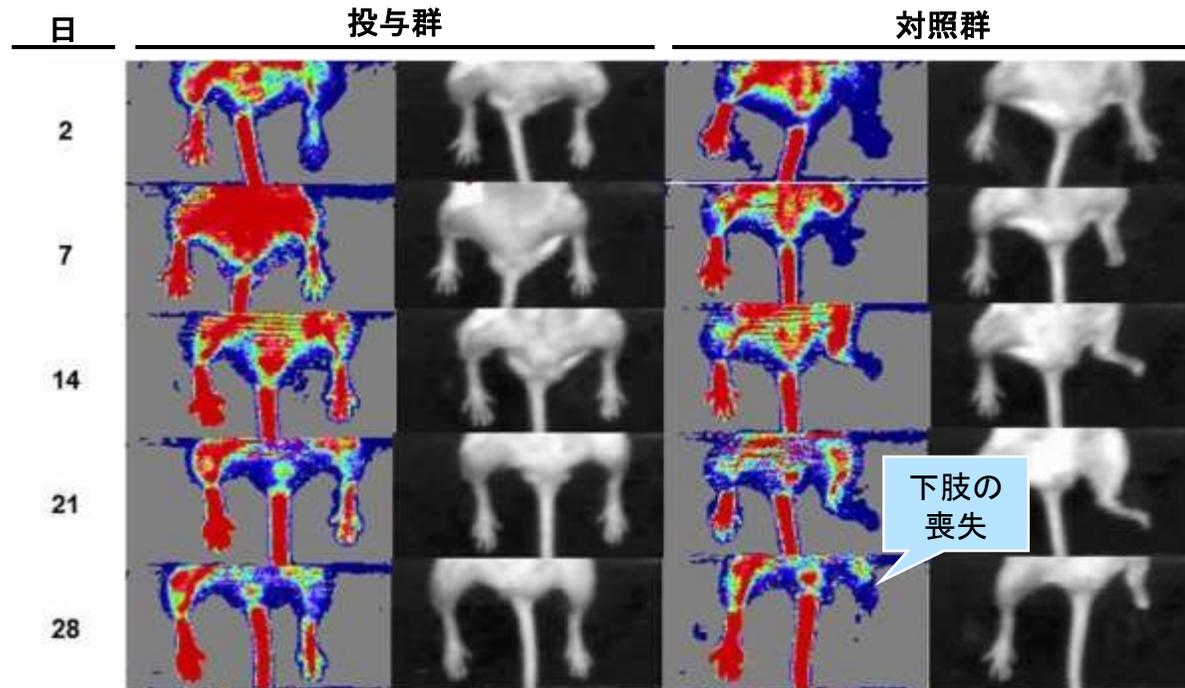
## 強化された新パイプラインと商業化への明確な道筋



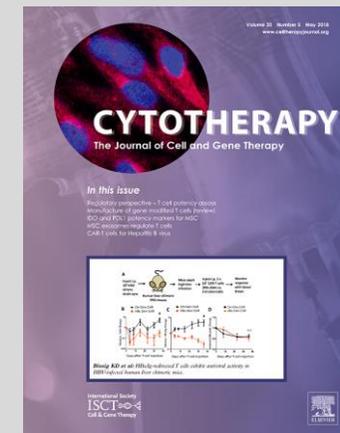
重症下肢虚血の臨床試験は、以前の前臨床試験の優れた結果を追跡したものである。

Cymerus MSCを投与されたマウスでは、対照群と比較して結果が有意に改善した

結果は査読済み雑誌に掲載された

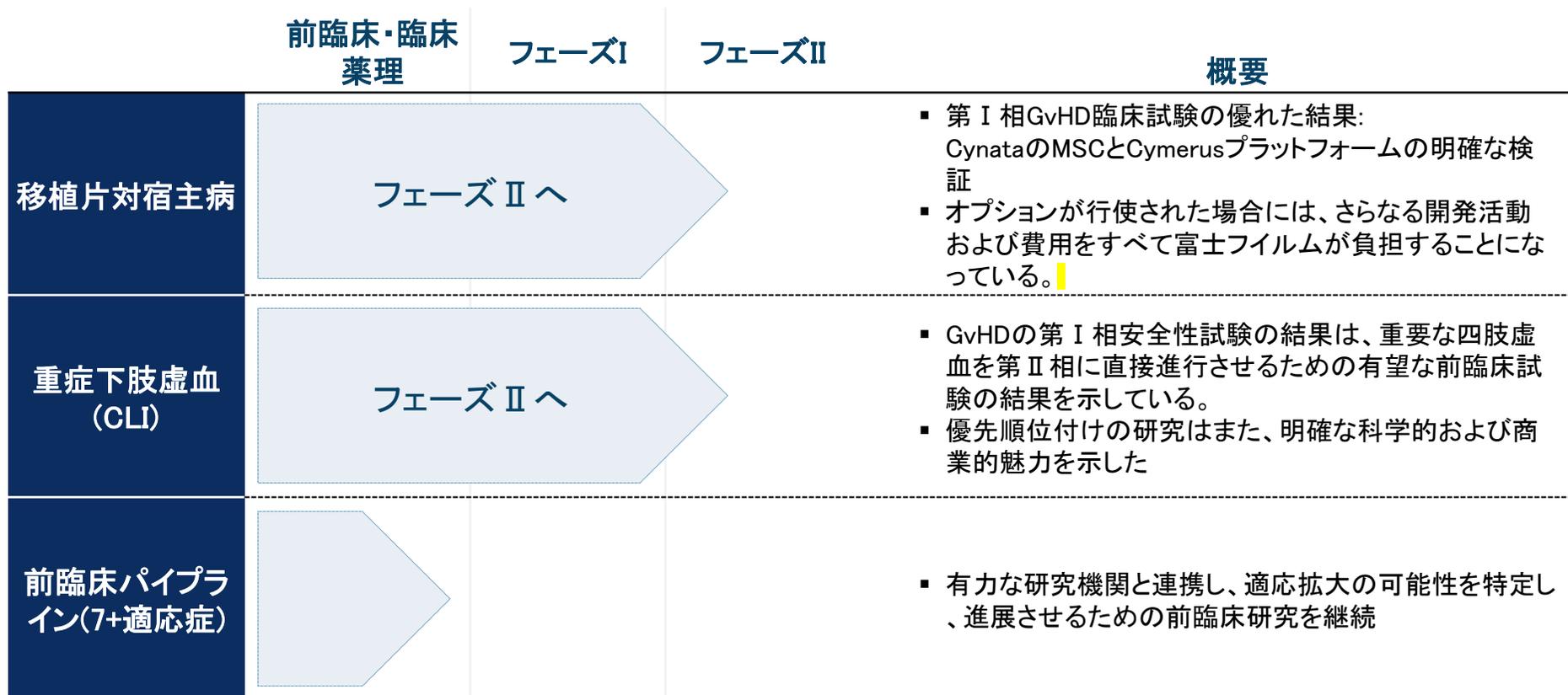


Cymerus MSCを投与した動物では、生理食塩水投与群と比較して血流量の改善 ( $p < 0.006$ ) および血流回復の速さ ( $p < 0.001$ ) が認められた。



CYTOTHERAPYは、サイトカイン、サイトセラピー、分子療法など、細胞生物学および免疫学の領域を扱う査読済みの医学雑誌である。

パイプライン:Cynataは、パイプラインを前進させるために十分な資金提供を受けている。



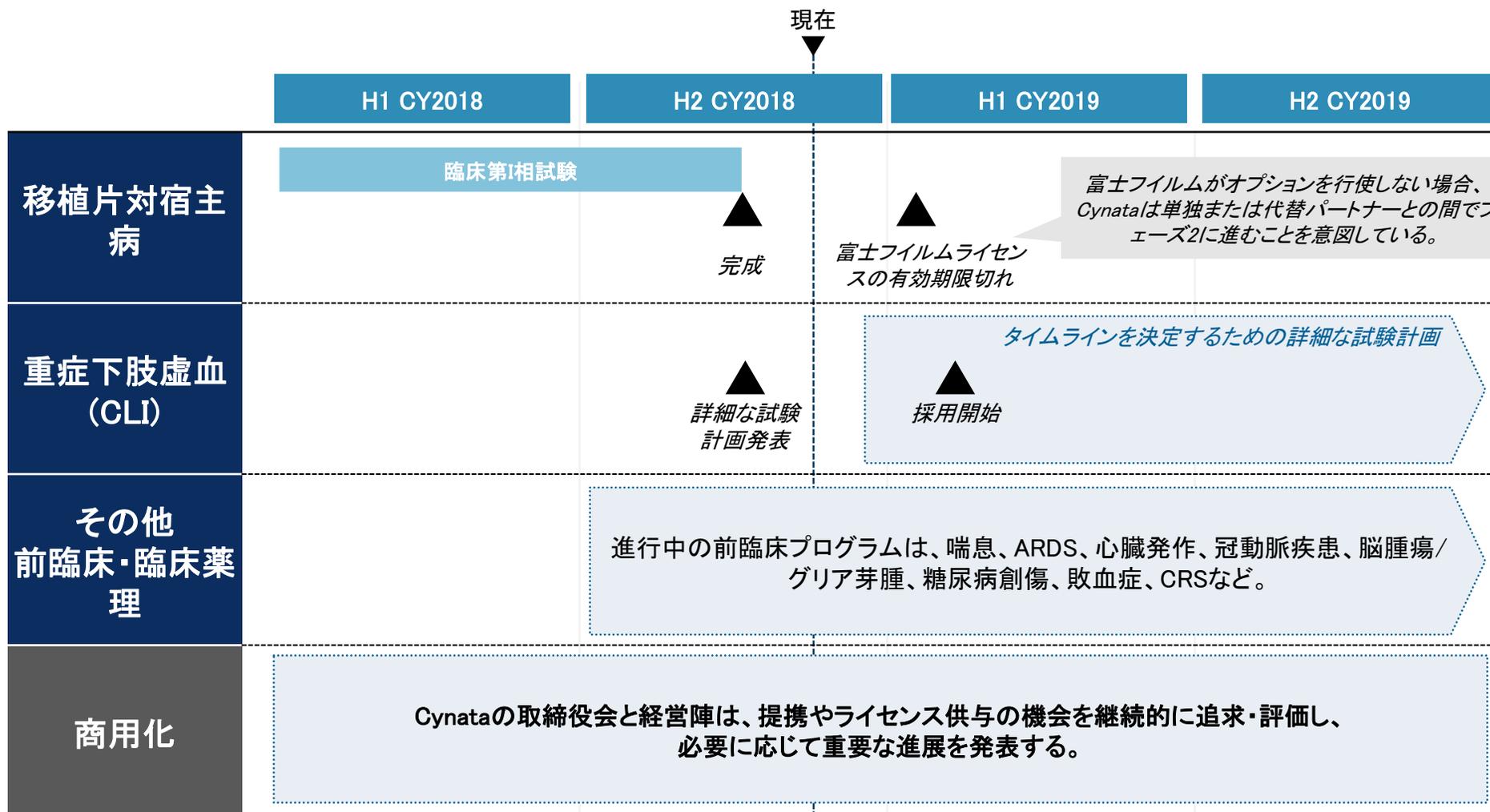
フェーズ II の準備が整った  
Cynataには十分な資金が提供されている。

10.9百万ドルのキャッシュ・バランス<sup>1</sup>

ライセンスパートナーとの費用分担

リベートの対象となる研究開発費

# 今後の重要なマイルストーン



# 前臨床試験プログラムの概要

対象領域	パートナー	前臨床試験開始	概念実証完了	主なポイント	*グローバルな市場機会
ARDS	Critical Care RESEARCH GROUP	✓		ブリスベンのプリンス・チャールズ病院と共同で、ARDSのヒツジにおけるCymerus MSCの有効性を評価する試験を開始する。	US\$2.5bn 2018 <sup>2</sup> までに
心臓発作	 THE UNIVERSITY OF SYDNEY	✓	✓	前臨床試験では、サイメリスMSCが心機能を回復させ、心臓発作後の瘢痕サイズを縮小させる可能性があることが示唆されている	US\$18.2bn 2019 <sup>3</sup> までに
脳腫瘍/神経膠芽腫	 UNIVERSITY OF QUEENSLAND	✓		がんにおける遺伝子組み換えMSCにおける共同研究:幹細胞を癌を標的とするように改変することを含む	US\$3.3bn 2024 <sup>4</sup> までに
糖尿病創傷	 Cell Therapy Manufacturing Cooperative Research Centre	✓	✓	CRC for Cell Therapy Manufacturingによる独立試験では、糖尿病創傷の前臨床モデルにおけるCymerus MSCの有効性を実証する陽性データが得られた	US\$4.9bn 2024 <sup>5</sup> までに
冠動脈疾患	 UNSW SYDNEY	✓		冠動脈疾患治療のためのMSC療法開発のための研究協力	US\$22.5bn 2021 <sup>6</sup> までに
ぜんそく	 MONASH University	✓	✓	Cymerus MSCsは喘息の3つの主要な構成要素に有意な有益性を示した:気道過敏性、炎症および気道リモデリング	US\$25.6bn 2024 <sup>1</sup> までに
サイトカイン放出症候群	University of Massachusetts Amherst	✓	✓	Cymerus MSCsを実証する前臨床モデルは、がん免疫療法に対する重篤で生命を脅かす可能性のある副作用であるサイトカイン放出症候群の効果を有意に改善する	US\$4.5bn 2022年までに (CAR-T) <sup>7</sup>
敗血症	 RCSI	✓		欧州有数の医療科学研究機関であるRCSI(アイルランド王立外科大学)と共同で、ICUの主要死因である敗血症におけるCymerus MSCsの有用性を検討する開発パートナーシップ	US\$5.9bn 2026年の <sup>8</sup> までに

良好な試験結果が、MSCの恩恵を受ける可能性のある他の多くの疾患標的への扉を開く

注

\*該当する治療カテゴリーに対する世界市場の総機会を反映する。

1. グランドビューリサーチ、2016)、2. バンムン・セラピューティクス社の発表、2018年3月GBI Research、2013; 4. Global Data、2016; 5. Transparency Market Research、2018; 6. Smithers Apex、2015; 7. Evaluate Pharma、2017; 8.GlobalData 2017

## グローバルに経験豊富なボードメンバー・経営陣



**ポール・ウオトン博士**  
会長

オカタ・セラピューティクス (NASDAQ:OCAT)の前CEOが、アステラス製薬が379百万米ドルの取引で買収して管理

Antares Pharma Inc.(NASDAQ:ATRS)、Topigen Pharmaceuticals、SkyePharma Inc.の前任者

Sigilon Therapeutics 設立CEO、Vericel Corporation、Veloxisの取締役、BIOTEC Canada Emerging Companies Advisory Boardの会長

アステラスが買収したOcata Therapeuticsの運営・収益化に関するノウハウ



**ロス・マクドナルド**常務取締役最高経営責任者 (CEO)

創薬・バイオビジネスにおける30年の経験と実績

Hatchtech, Sinclair Pharmaceuticals, Connetics Corporation(カリフォルニア州/パロアルト)およびStiefel Laboratories(世界最大の独立した皮膚科学企業)の以前の上級管理職。2009年にGSKが2.25bポンドで買収。

医薬品・バイオ事業の実績



**スチュワート・ワッシャー博士**  
非常勤役員

20+ 長年にわたり医療技術、バイオテクノロジー、農業関連企業のCEOと取締役会の経験

オートセル・リミテッドとミノミック・インターナショナルの会長  
Calzada(ASX:CZD)、Phylogica(ASX:PYC)、CelentisでCEOを務め、ニュージーランドのAgResearch社の知的財産の商業化を管理し、650名の科学者と1億3000万ドルの収入を得た

成長企業のCEOおよび取締役としての豊富な経験



**Dr John Chiplin**  
非常勤役員

ライフサイエンス・テクノロジー産業における国際的な経験  
最近の取引には、米国幹細胞会社のMedistem(Intrexonが買収)、Arana(Cephalonが買収)、Domantis(GSKが買収)などがある。

イギリスの\$300M ITI Life Sciences投資ファンドおよび自身の投資ピークルであるNewstar Venturesの責任者

ライフサイエンス分野の幅広い取引を統括・管理



**Mr Peter Webse**  
非常勤取締役会社秘書役

+25 会社の長年の秘書経験  
企業秘書、コーポレートガバナンス、企業アドバイザーサービスを提供する専門会社であるPlatinum Corporate Secretariat Pty Ltdのマネージングディレクターの経験

25年以上の会社秘書および管理経験



**キリアン・ケリー博士**  
製品開発担当副社長役

製薬/バイオテクノロジーの研究開発における15年間の商業的および学術的経験

Biota Pharmaceuticals (NASDAQ:BOTA)の医薬品開発部門上級ディレクター、Mesoblast Limited(ASX:MSB)のを務めた。

学術的及び商業的卓越性、広範な関連マネジメント経験

## 投資に関するハイライト

---

- **世界初のスケーラブルな技術:**Cymerusプラットフォームは、他の製造方法の固有の課題を克服し、治療用MSCの大量生産を可能にする。
- **フェーズ II へ:**優れたフェーズ I の結果は、CynataのCymerusプラットフォームのバリデーションとなり、GvHDおよびその他の適応症では、Cynataはフェーズ II に進むのに適したポジションにいる
- **臨床プログラムの優先適応領域として特定された心血管疾患:**重篤な下肢虚血の第II相計画が開始され、2019年に試験が開始される予定
- **魅力的なライセンス主導型ビジネスモデル:**GvHDの富士フィルムライセンスオプション(60百万米ドル以上)とロイヤリティ
- **有益な市場機会:**GvHDとCLIだけでMSC製品の推定17億米ドルの収益機会
- **臨床プログラムの進捗に十分な資金を提供:**現金残高10.9百万ドル



ご清聴ありがとうございました。

**Cynata Therapeutics Limited**

Level 3

62 Lygon Street

Carlton

Victoria 3053

Australia

**問合せ先責任者**

 [ross.macdonald@cynata.com](mailto:ross.macdonald@cynata.com)

 +61 (0) 412 119343

 [www.cynata.com](http://www.cynata.com)

