

筋減少症治療剤の開発

マイオーテックサイエンス株式会社

会社紹介

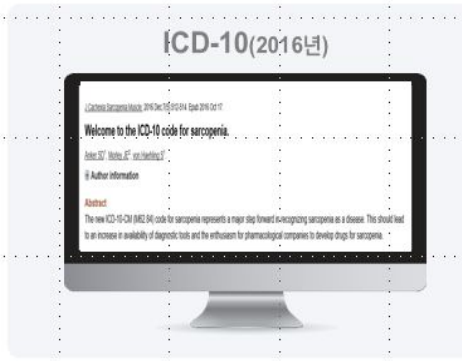
- 2019.6 初期創業パッケージ選定(中小ベンチャー企業部)
- 2019.9 創業
- 2020.6 1億投資誘致(高大技術持株会社)
- 2020.7 TIPS選定(計5億)
- 2021.1 研究所企業登録(第1111号 / 洪陵江蘇特区)
- 2021.4 TIPS事業化課題の選定(1億)
- 2021.5 バイオデータ検証支援事業(5千万ウォン、科学雇用振興院)
- 2021.4 技術移転事業化課題選定(2億5千、特区事業)
- 2021.7 FTO特許分析支援プログラム選定(産業団地技術事業化支援センター)
- 現在 **ベンチャー企業認証及び企業付設研究所設立中**
- 現在 韓国技術ベンチャー財団(KTVF)グローバル技術事業化コンサルティング支援
- 現在 Pfizer, Novo NordiskなどOPEN INNOVATION打ち合わせ

技術紹介

技術概要

概要:筋減少症

筋肉量の減少を抑制するための臨床的ニーズが増加しているが、FDAに承認された治療剤は



筋減少症の概要

- 筋肉量および筋肉機能の減少
- 年代別筋肉量減少

- 30代から進行
- 20~70代まで
- 10年ごとに8%減少

Medical Unmet needs

正常群に備えた代謝症候群の露出リスク

筋減少患者	肥満患者	筋減少性肥満
約2.5倍増加	約4.0倍増加	約5.5倍増加

市場概要

費用：筋肉市場の持続的な増加予想機能

有病率

国外: 2050年, 全世界人口のうち**65歳以上の高齢人口22%**(約20億人:イギリス統計庁)、有病率約 10% > 約2億人の患者が発生可能。
国内: **国内筋減少症の有病率8.8%** (6歳以上対象 TT=5660) (J Gerontol A Bio Sci Med Sci, 2014年)

技術紹介

概要/開発過程の問題点: 非選択性(Non-Selectivity)、オフターゲット(off-target)

抗体問題点

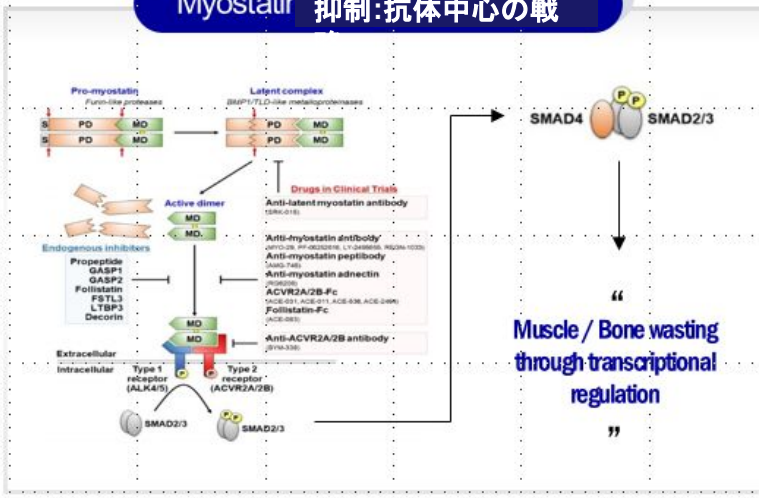
Myostatin 抗体: 開発中断

ファイザー (Pfizer): Myostatin抗体であるドマグロジュマップ (Domagrozumab)は2018年臨床試験(2相)で1次効能を満たせず開発終了。



ロシュ (Roche): 2019年月1次評価基準を満たせず、Myostatin抗体であるRG6206研究中断

Myostatin 抑制: 抗体中心の戦



Myostatin: TNF family proteins: 構造類

抗体戦略の問題点: 抗体がマイオスタチン以外のたんぱく質に結合

TGF-β1	L	G	W	-	-	K	W	I	H	E	P	K	G	Y	H	A	N	F	C	L	G	P	C	P	Y	I	W	S	L	D
TGF-β2	L	G	W	-	-	K	W	I	H	E	P	K	G	Y	N	A	N	F	C	A	G	A	C	P	Y	L	W	S	S	D
TGF-β3	L	G	W	-	-	K	W	H	E	P	K	G	Y	A	N	F	C	S	G	F	C	P	Y	L	R	S	A	D		
myosta	F	G	W	-	-	D	W	I	A	P	K	R	Y	K	A	N	Y	C	S	G	G	E	F	V	F	L	Q	K		
GDF-11	F	G	W	-	-	D	W	I	A	P	K	R	Y	K	A	N	Y	C	S	G	G	E	Y	M	F	M	Q	K		
Inh-βA	I	G	W	-	N	D	W	I	A	P	S	G	Y	H	A	N	Y	C	E	G	E	C	P	S	H	I	A	G	T	
Inh-βB	I	G	W	-	N	D	W	I	A	P	T	G	Y	Y	G	N	Y	C	E	G	S	C	P	A	Y	L	A	G	V	
Inh-βC	I	G	W	-	H	D	W	I	A	P	E	G	Y	A	M	N	F	C	I	G	Q	C	P	L	H	I	A	G	M	
Inh-βE	L	G	W	-	R	D	W	I	L	Q	P	E	G	Y	Q	L	N	Y	C	S	G	Q	C	P	P	H	L	A	G	S
Inh-α	L	G	W	-	E	R	W	I	V	Y	P	P	S	F	I	F	H	Y	C	H	G	G	C	L	H	I	P	P	N	
BMP-3	I	G	W	-	S	E	W	I	S	P	K	S	F	D	A	Y	Y	C	S	G	A	C	Q	F	P	M	P	K	S	
GDF-10	I	G	W	-	N	E	W	I	S	P	K	S	F	D	A	Y	Y	C	A	G	A	C	E	F	P	M	P	K	I	

技術紹介

医学/化学専門研究チームの共同研究で源泉性が高く差別的な基盤を持つ新物質の開発

Myostatin抑制:抗体中心の戦略

筋減少症研究の難しさ

- 多因子: 内因性/環境省調節
- 多標的: タンパク質合成/分解

従来アプローチでは限界

- ホルモン製剤などの副作用
- 抗体等off-target発生

本研究陣の克服策

アミノ酸ベースの新物質合成

- 筋肉量調節研究専門
医学グループ(15年以上研究)
- アミノ酸合成研究専門
化学グループ(20年以上研究)

Mode of actionの差別化

- 標的機戦: Myostatin転写調節
- プロモーター基盤HTS構築

技術紹介

分類(素材別)		段階	特許	主な記述内容
非天然 アミノ酸	治療薬	前臨床毒性	2件	<ul style="list-style-type: none">•非天然アミノ酸誘導体:治療剤、前臨床毒性分析(9月以降PKCMC予定):D-alanineD-prolineなど類似体 back-up技術保有•非天然アミノ酸(D-型基盤):老犬専用の筋肉機能改善栄養剤/飼料
マイオカイン	治療薬	ノックアウト 動物検証	2件	<ul style="list-style-type: none">•新規マイオカイン4個発掘 (if1, CHITINASE 3K=LIKE 1, METRNL, Cathepsin):ソウル大学盆唐病院コホート検証: knock-out mice model-target validation
天然物	乾式/新薬	動物 効能検証	6件	<ul style="list-style-type: none">•フィトンチッド, 含硝, アロニア, ドクダミなど多数•フィトンチッド: Cedrol I誘導体新薬開発中(企業共同、PCT)•その他の素材別適応症・剤型究明後、独自開発・企業移転を推進

技術紹介

□ 既存技術との比較

区分	当社技術の優位性	既存技術
項目 1	-副作用なし	-タンパク質製剤->筋力強化
項目 2	-半減期が長くなり投与回数が減少	-ミノ酸製剤->筋力強化
項目 3	-副作用なし(血栓症)	-メゲステロール(テストステロン製剤)→筋減少症
項目 4	-副作用なし(高血糖)	-アナモナリン(ghrelin receptoragonist)→癌性悪液質




技術競争力 従来品に代わる新しい起電 / 優れた性能を持つアミノ酸誘導小分子物質

外部環境	内部力量	強み Strength	弱み Weakness
	機会 Opportunity	<ul style="list-style-type: none"> 副作用なし/効能優秀/長期間服用可能 技術価値分析を通じて開発価値を立証 薬理的効能データ十分 	<ul style="list-style-type: none"> あらゆる臨床段階と製品化との大きなギャップ FDA基準の活用経験不足
	危険 Threat	<ul style="list-style-type: none"> アミノ酸治療剤技術先導 すい臓がん患者の健康マーケティング 適応中拡大 	<ul style="list-style-type: none"> CRO品目許可管理サービス 製型開発と新規適応中発掘
		<ul style="list-style-type: none"> 従来の抗がん剤との併営による新製品の開発 従来の補助剤とのシナジー効果確保 	<ul style="list-style-type: none"> グローバル企業の open innovation参加 海外法人の現地化 & 安定化



技術紹介

技術適用範囲および応用分野

<p>65歳以上22% (2050)</p>  <p>老化</p> <p>筋減少症有病率 8.8% (65歳以上対象)</p>	<p>タンパク質サプリメント</p>  <p>運動グループ</p> <p>健康食品 2017年 2兆704億ウォン</p>	<p>抗がん補助剤</p>  <p>抗がん患者</p> <p>末期がん患者の 筋肉ニーズ増加</p>
--	--	---

問題点

高齢化筋減少の不在 現在:筋減少に対する薬物なし →抗後筋肉機能を維持する老人常備薬開発が必要

たんぱく質のサプリメントは不作用が大きい
現在:たんぱく質サプリメントアミノ酸複合製剤 →今後:安全で少量で筋肉を鍛えることができる補助剤が必要

抗がん剤は筋肉損失を誘発 現在:メゲステロール食欲促進剤は効果なし →今後:抗がん患者の筋肉を維持させる補助剤が必要

**筋減少症は2016年米国でCD-10コード付与し、
現在までFDAに承認された治療剤はない**
(臨床2相2件、臨床1相1件進行、非臨床7件進行中)

肺癌悪液質質質応用可能

診断基準(Lancet Oncology, 2011)

- 過去6ヶ月間、5%以上の体重減少
- 筋肉減少症と2%以上の体重減少

悪液質が最も頻繁に発生

<p>頻発癌</p> <ul style="list-style-type: none"> ・膵臓癌 ・消化器系癌 ・肺・頭頸部癌 	<p>抗がん患者</p>  <p>筋小室により予後悪化</p>
--	--

膵臓癌予後

5年生存率:10% → 最も低いがん(国家がん登録統計、2019)

現在使用中の治療剤とそれに対する問題点

<p>メゲステロ</p> <p>食欲増加 → 血栓症発生</p>	<p>アナモレリ</p> <p>⇒ 2020年承認(日本)</p>
----------------------------------	-----------------------------------

デュセン型筋ジストロフィー 応用可能

技術紹介

□ 価格

ユーザー集団		Unmet		기존제품 대비 우수성
1次	一般人	健康増進	運動グループ/筋肉をつけた い	(従来)タンパク質 75g/1 day, 価格 540ウォン(売 値) (本製品) 1.28g/1 day, 価格 122ウォン(原価)
		健康リスク	老人/若さを保ちたい	(従来) BCAA 30g/1 day, 価格 1680ウォン(売 値)
2次	病人	病気の客	がん患者/生活を維持したい	(現在) Megesterol 800mg/day, 価格 3423ウォ ン

市場現状及び見込み

国内市場の現況と展望(筋減少症)

市場参入及び目標占有率

目標市場	エリア	規模	目標占有率	提供価値	予想売上高(占有率基準)
タンパク質power 市場 (国内= その他市場)	国内	1000億	5%	タンパク質サプリメントに比べ、簡単で安全な安価な製剤	50億/2027年から
	海外	5兆 4600億	1%	筋肉補充ウェルネス製品	(2027年以降から可能)

市場参入及び目標占有率

目標市場	エリア	規模 (2019)	目標占有率	提供価値	予想売上高(占有率基準)
抗老化健康機能試 品	国内	4兆5821億	1%	高齢者の筋肉の健康を維持するための常備薬	458億/2027 年から
	海外	40兆 998億	0.1%	科学的効能、安定性、価格競争力	400億 (2027年以降から可能)
抗老化 医薬品/治療薬	海外	35兆 5976億	-	筋減少症治療の源泉新薬候補	-

権利獲得現況

□ 韓国及び海外出願、登録現況

番号	出願状態	特許番号	出願日	特許名
1	出願	10-2019-0117223 10-2020-0123047 PCT/KR2020/012994	2019.9.24 2020.9.23 2020.9.24	非天然アミノ酸誘導体を含む筋減少症の予防または治療用薬学的組成物
2	出願	10-2019-0117225 10-2020-0123054 PCT/KR2020/012984	2019.9.24 2020.9.23 2020.9.24	非天然アミノ酸を含む筋減少症の予防または治療用薬学的組成物
3	出願	10-2018-0084052 10-2019-0086372 PCT/KR2019/008915	2018.7.19 2019.7.17 2019.7.19	マイオカインを含む根減少症の予防または治療用薬学的組成物
4	出願	10-2021-0019393	2021.2.15	カキュミンを含む根減少症の予防または治療用薬学的組成物
5	出願	10-2021-0019401	2021.2.15	鱒茸エキスを含む根減少症の予防または治療用薬学的組成物
6	出願	10-2021-0019407	2021.2.15	冬虫夏草エキスを含む筋減少症の予防または治療用薬学的組成物
7	出願	10-2021-0019417	2021.2.15	カボチャの種エキスを含む筋減少症の予防または治療用薬学的組成物

権利獲得現況

□ノウハウ及びその他の保有技術の現況

AI-基盤新薬合成	活用技術拡大	0	<ul style="list-style-type: none">イスラエル Pepticom: AI-based drug design2020~ 協議中韓-イスラエル財団の課題開始 (2021予定)
デュシェン型筋ジストロフィー治療薬 (Orphan drug)	適応症拡大	出願準備中	<ul style="list-style-type: none">DMD assay 分析法の構築 ->IP確保予定DMD 適応症拡大2021年 DMDパイプライン追加

マーケティング目標

□ 製品開発、技術移転、R&D資金、投資誘致

サポート	核心パートナー	顧客群	中核活動	コスト構造
<ul style="list-style-type: none"> ・アミノ酸ライブラリ ・知的財産権 ・研究基盤システム ・研究人材 	<ul style="list-style-type: none"> ・研究開発専門会社共同開発) ・中大型製薬会社(L/O対象) ・グローバル製薬会社 ・投資会社 	<ul style="list-style-type: none"> ・予後改善を望む癌患者 ・筋肉機能の改善を希望する一般人 ・技術移転を望む会社 	<ul style="list-style-type: none"> ・製品開発及びUNPO推進 ・研究代行サービス ・M&A及び技術移転 	<ul style="list-style-type: none"> ・人件費、開発費用、許認可費用 ・知的財産権の出願、維持登録費用 ・非臨床および臨床費用 ・技術マーケティング費用

▶収益源及び実績(現在まで)▶

製品の開発と販売	技術移転(国内→海外)	R&D 資金受注	投資誘致
<ul style="list-style-type: none"> ・治療剤 (2027年の売上発生予想) ・動物用医薬品販売 (2022年予想) ・乾燥式販売 (2021年下半期) 	<ul style="list-style-type: none"> ・4億ウォン(技術移転2件、2019/2020年それぞれ1件) ・400万ウォン(分析サービス2件) 	<ul style="list-style-type: none"> ・5億ウォン(TIPS 課題) ・2.5億ウォン(特区課題、技術移転事業化) ・1億ウォン(チップス事業化) ・5千万ウォン(エムエフシー(株)企業共同) 	<ul style="list-style-type: none"> ・1億ウォン(高大技術持株会社)