創薬から製薬企業へ

ファーマフーズ

ファーマフーズは、創薬から製薬企業へと進化を遂げる。従来は独自技術「ALAgene technology（アラジンテクノロジー）」を駆使して医薬品の有効成分となるニワトリ由来ヒト化抗体を作り出し、製薬会社へ導出していたが、今後は治療薬候補物質の探索から導出までにとどまらず、ファーマフーズ自らが治験を主導し、さらには製造販売承認申請を行い、自販できるようにしていきたい考え。現在、指定難病の一つである遺伝性の脳小血管疾患であるCADASIL（カダシル）向け治療薬の治験に取り組んでいるが、ファーマフーズが主体となって進め、2030年の製造販売承認取得を目指している。カダシル治療薬の実用化をもって、製薬会社としての一歩を踏み出す。

ファーマフーズの拡大を牽引しているのがBtoC事業。医薬部外品の育毛剤「ニューモ育毛剤」、サプリメント、化粧品といったニワトリの卵に含まれる成分を活用するなどした独自商品を通信販売で一般消費者に届けている。また、ギャバ（γ－アミノ酪酸）をはじめとした機能性素材を飲食品メーカーに提供したり、自社ブランド商品を小売店で販売したりするBtoB事業も成長を支えている。これらをさらに伸ばしていくとともに、バイオメディカル事業の育成にも積極的に経営資源を投じている。

社名に「ファーマ」を冠しているように創薬・製薬に対する思い入れは強い。同社が創薬研究を開始したのは06年。取り扱いにけるニワトリから抗体を取り出し、配列を変えてヒトに投与できるようにする独自のニワトリ由来ヒト化抗体作製技術であるアラジンテクノロジーを磨いてきた。ヒトなどの哺乳類とニワトリは系統が大きく異なっており、ニワトリ由来の抗体を利用することで画期的な抗体医薬品を作り出せる可能性を秘めている。18年に田辺三菱製薬（現田辺ファーマ）と抗体医薬品に関する共同研究契約を結び、21年には田辺三菱製薬に抗PAD（ペプチジル・アルギニン・デイミナーゼ）4抗体を導出。田辺ファーマは抗PAD4抗体「MT－3534」（治験コード）を用いる自己免疫疾患治療薬の実用化に向け治験を進めており、第1相臨床試験aを終えている。

ファーマフーズは今後、創薬会社の枠にとどまらず、自社創製するなどした治療薬候補物質の治験を主導して進め、そして製造販売承認申請を行い、取得後の販売までを手がけられる製薬会社へと発展を遂げたい考え。製薬会社を目指し、治験に携わるなどした経験を持つ人材を採用するなど体制を整えている。

ビジネスモデルの変革に挑みつつ、重点疾患領域も変更した。これまでの自己免疫疾患から、指定難病や膵臓がんといったがんに狙いを定めている。現在、ファーマフーズの創薬パイプラインは田辺ファーマに導出した自己免疫疾患治療薬向け抗PAD4抗体を含め5つ。このうちの一つがカダシル治療薬だ。

カダシルはNOTCH3遺伝子の病原性バリアントが原因となり、常染色体顕性遺伝（優性遺伝）形式で発症し、大脳白質病変を特徴とする遺伝性脳小血管疾患。根本的な治療法は確立されておらず、指定難病に定められている。

カダシル患者は典型的には20～30歳ごろに片頭痛、30～40歳ごろに脳卒中、40～50歳ごろに認知症を発症し、脳梗塞を繰り返すと60歳前後で寝たきりとなり、65～70歳前後で死亡することが多いと考えられてきた。日本国内には約3800人のカダシル患者が存在するとみられるが、発症しない人もおり、潜在的には数万人以上いると考えられている。

ファーマフーズは国立循環器病研究センター（国循）などと協力してカダシル制圧に挑む。カダシル治療薬の候補物質として研究開発に取り組んでいるのがアドレノメデュリンだ。アドレノメデュリンは生体内に存在する生理活性ペプチドで血管、組織、臓器を保護する役割を果たしており、血管新生作用、血管拡張作用、大脳白質再生作用といったカダシル治療に求められる薬理作用を有していることからカダシル治療薬となる可能性を秘めている。

カダシル治療薬の臨床開発品は国循が医師主導治験のフェーズ2を実施し完了している。今年、ファーマフーズは国循などとアドレノメデュリンを用いるカダシル治療薬の開発および商業化に関する独占的実施許諾契約を結んだことから今後は国循と協力しながら治験を進める。30年の製造販売承認取得を目指しており、ファーマフーズ自らが申請を行い、取得後は販売も手がけたいとしている。自社販売体制を構築していくうえでM&A（合併・買収）の実施も視野に入れている。

がん領域においてはコア技術であるアラジンテクノロジーとアカデミアなど外部の最先端技術を組み合わせてアンメットメディカルニーズに応えていく。抗体の安定性・親和性・製剤適性などを考慮しAI（人工知能）技術を活用して抗体作製工程を最適化し、短期間で抗体を作り出せるという技術を持つ東京大学大学院工学系研究科の津本浩平教授や、がん特異的抗体作製技術「CasMab（キャスマブ）」を有する東北大学大学院医学系研究科の加藤幸成教授と共同で研究開発を進めている。キャスマブ法を基盤として創出された複数の抗体に関しては創薬シーズとしてライセンス導入している。

がん領域では現在、適応症として膵臓がんなどを想定している「PFI－701」（開発コード）、乳がんなど向け二重特異性抗体薬物複合体、そして膵臓がんなど向け二重特異性抗体薬物複合体の3種類について探索研究に取り組んでいる。PFI－701はたんぱく質と糖鎖が結合したものを認識することが可能で、早期にパートナーを見つけたいとしている。

抗体を用いるがん治療薬は国内外で上市したい考え。国内市場については製薬会社への導出に加え、カダシル治療薬と同様にファーマフーズが主導して治験を担えるようにもしていきたいとしている。

ニワトリから取り出した抗体をヒト化する技術にたける

R＆Dパイプライン

PJ	モダリティ	想定第一適応症	開発地域	リード取得	最適化（候補品選定）	前臨床（IND申請）	臨床試験
1	ペプチド	カダシル治療薬	日・韓・台	PFI-780/国立循環器病研究センター協業			P3準備中
2	抗体	自己免疫疾患	グローバル	MT-3534/田辺三菱製薬（現田辺ファーマ）に導出			P1b準備中
3	抗体	固形癌（膵臓癌等）	グローバル	PFI-701/癌特異的抗体			
4	抗体	固形癌（乳癌等）	グローバル	癌特異的抗体 Bispecific ADC			
5	抗体	固形癌（膵臓癌等）	グローバル	癌特異的抗体 Bispecific ADC			

治験主導し承認申請・自販まで

カダシル治療薬実用化で第一歩

指定難病やがんに重点領域変更