

ReboRNA
Reborna Biosciences, Inc.

Reborna Biosciences

Save the life of rare disease patients and
the parents by RNA binding molecules.

株式会社リボルナバイオサイエンス
代表取締役 富士 晃嗣

希少疾患に関連する数字



350M

全世界の希少疾患患者数



80%

希少疾患のうち
遺伝性疾患の割合



30%

5歳未満で死亡する
希少疾患患者の割合



5%

全医薬品で希少疾患
治療薬が占める割合

アンメットメディカルニーズが高いにも関わらず、
遺伝性希少疾患に対する治療薬の研究開発は十分であると言えない

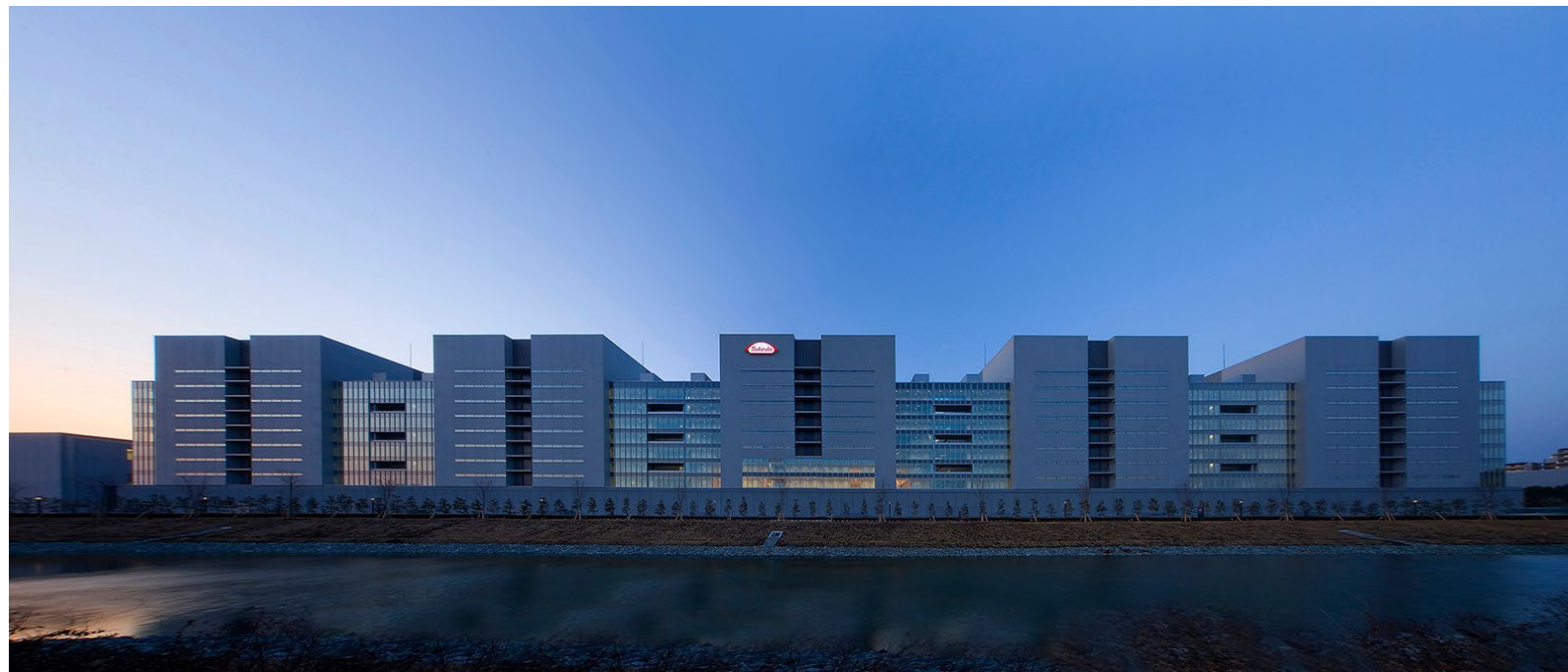
株式会社リボルナバイオサイエンス

武田薬品工業株式会社



株式会社リボルナバイオサイエンス

〔 遺伝性希少疾患を対象とした, RNA標的
経口治療薬の研究開発を行うベンチャー 〕

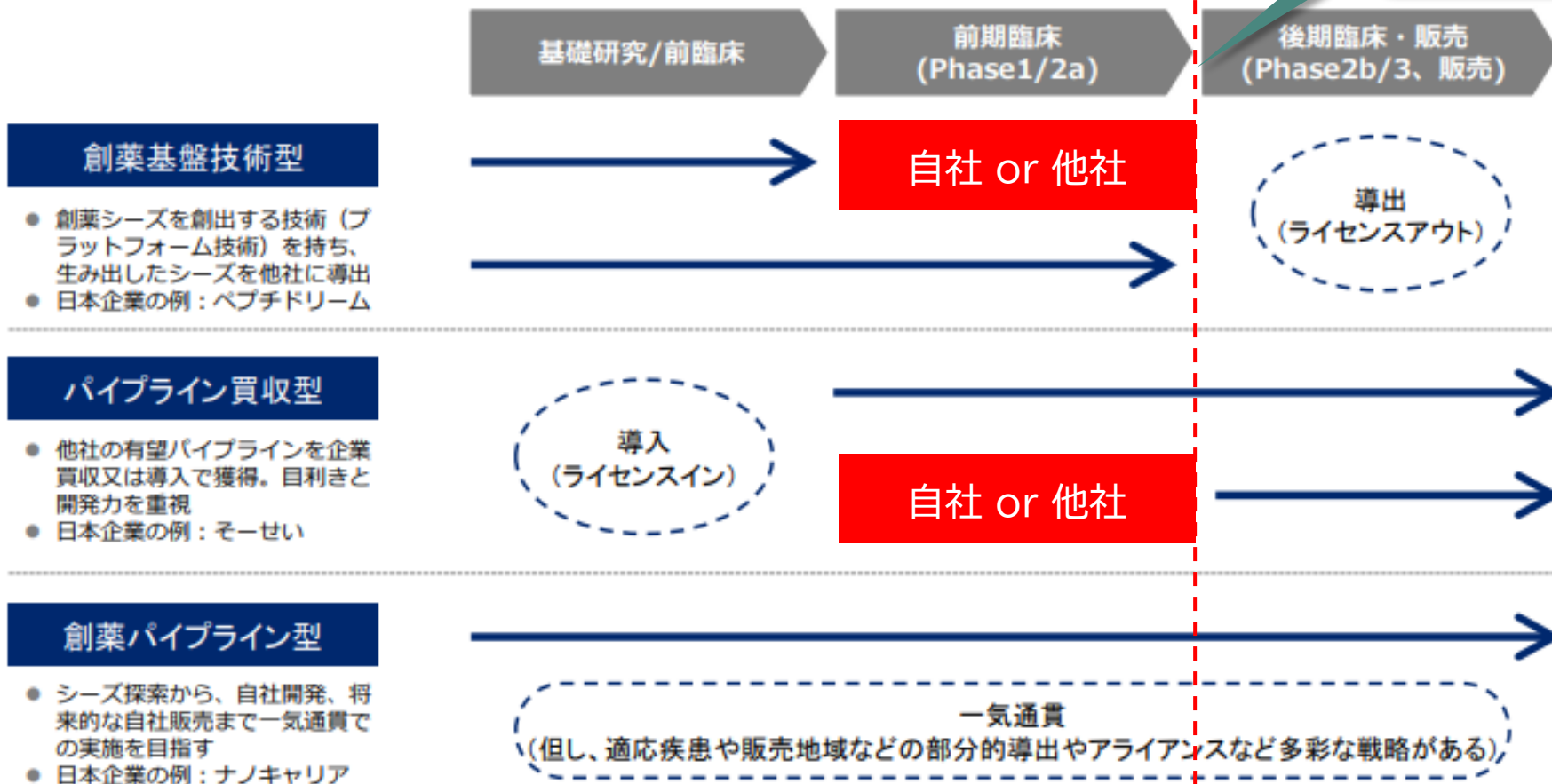


EVP (Entrepreneurship Venture Program)とは;
医療ニーズに応えることができるスキル・専門知識・アイデアを持った研究者が、独立したバイオベンチャーを起業するために、武田薬品から必要なアセットや準備機会を提供するイニシアチブ

バイオベンチャーの一般的なビジネスモデル

バリューチェーンに応じたバイオベンチャーのビジネスモデル分類

標準的なライセンス
アウト時期



日本では最も多いが
欧米で少ないモデル

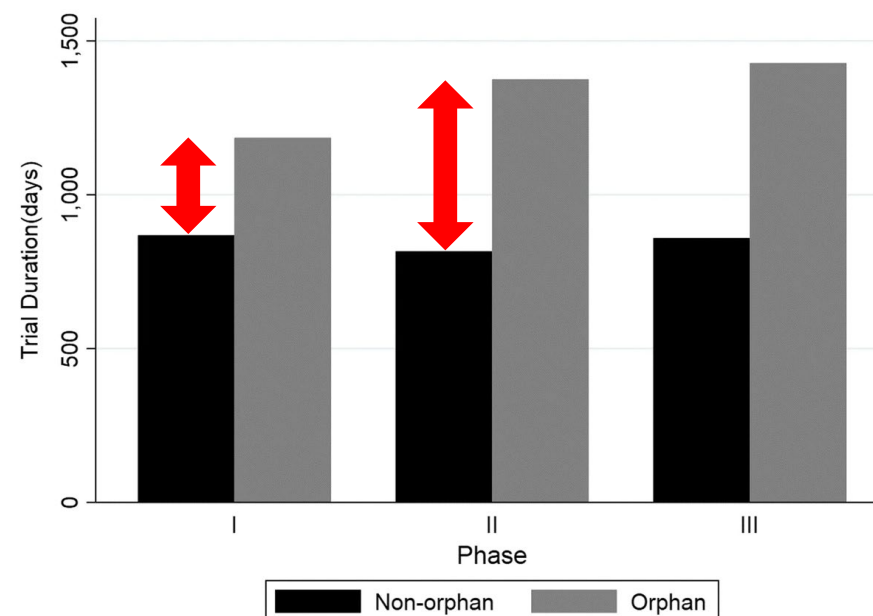
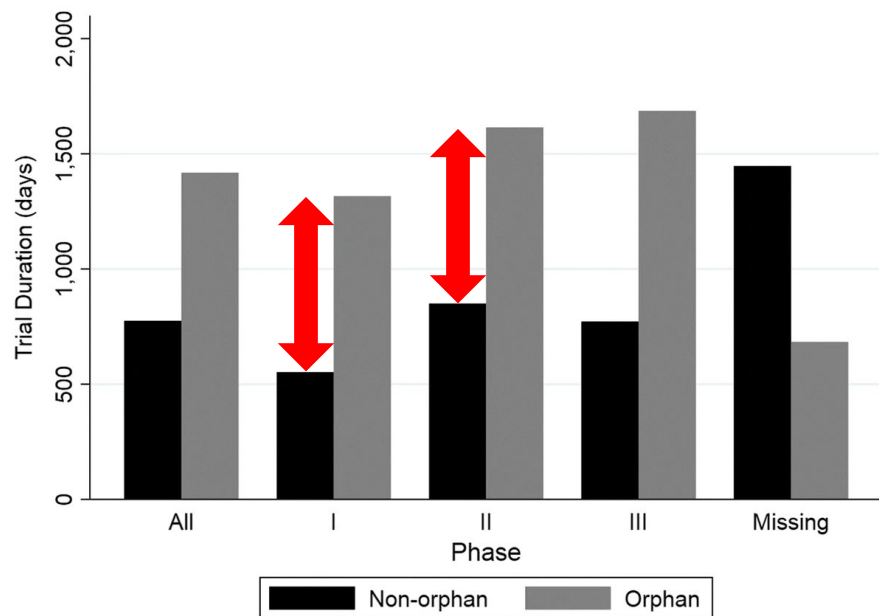
欧米に比べ日本で割
合が高いモデル

欧米で最も多く見ら
れるモデル

出典：経済産業省(バイオベンチャーのビジネスモデルと資金調達のある方(一部追記))

創薬基盤技術型, パイプライン買収型では前期臨床試験を自社もしくは他社と共同で実施する必要がある

希少疾患治療薬の臨床開発費用と期間



Study Duration for each trial phase for non-orphan and orphan groups. Missing = trial phase information not available

Study Duration by trial phase for NMEs only

Drug Type	Phase	Estimated out-of-pocket clinical costs (in millions of 2013 USD)	Probability of entering phase	Expected out-of-pocket clinical costs (in millions of 2013 USD)	Overall Probability of clinical success	Out-of-pocket clinical cost per approved drug (in millions of 2013 USD)
Non-orphan	1	\$2.6	100%	\$2.6	10.44%	\$291.4
	2	\$9.9	64.5%	\$6.4		
	3	\$102.7	20.9%	\$21.5		
	Total			\$30.5		
Orphan	1	\$3.8	100%	\$3.8	32.93%	\$166.1
	2	\$23.7	86.8%	\$20.6		
	3	\$49.9	60.8%	\$30.3		
	Total			\$54.7		

希少疾患を対象とした臨床試験は、非希少疾患対象薬の開発に比べ、期間が長く、費用も嵩む

理由
 ⇒患者のリクルーティング
 ⇒専門的な機関の確保(病院・CRO・高度専門人材など)

Estimated out-of-pocket clinical costs = costs accrued by the researcher to conduct the trial, Expected out-of-pocket clinical costs = cost accrued by the researcher adjusted for trial success, Overall probability of success = probability of success from phase 1 to regulatory approval

Orphanet Journal of Rare Diseases volume 14, Article number: 12 (2019); Estimating the clinical cost of drug development for orphan versus non-orphan drugs

希少疾患を対象とした臨床試験実施に必要なもの

➤ 安定的かつ十分な資金調達環境

- エクイティファイナンス
 - ✓ ベンチャーキャピタル(Exit戦略)
 - ✓ コーポレートベンチャーキャピタル(サポーター/コンパティター)
 - ✓ エンジェル投資
- 補助金・助成金
 - ✓ AMED(アカデミア/ベンチャー/大企業)
- 借入れ・融資

十分な資金を調達するハードル

➤ 臨床開発機能

- CROの選定
- 臨床開発責任者の採用

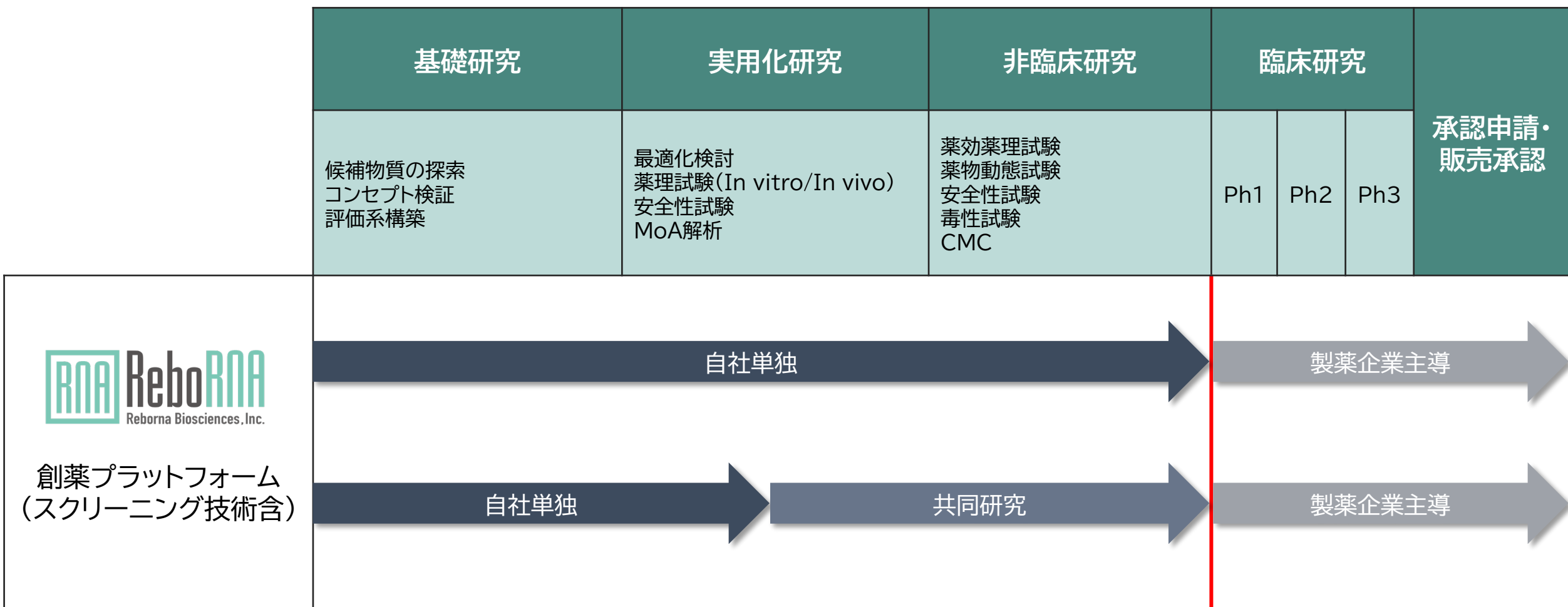
臨床開発チームビルディングのハードル

➤ 患者のリクルーティング

- 専門医のネットワーク
- 患者団体

ビジネスモデル

独自のスクリーニング技術を含む創薬プラットフォームから見いだされたパイプラインを製薬企業へ導出するビジネスモデルを採用。臨床試験は製薬企業が主導し、非臨床研究を自社単独もしくは共同で実施することで早期事業化を目指す



パイプラインの早期導出（早期事業化）に必要なもの（その1）

➤ パートナー製薬企業との良好なリレーション

- パートナー選び
- 計画的な研究開発戦略
- オープンイノベーション
- ポートフォリオマネジメント

➤ 充実したパイプライン

- カスタマー(製薬企業)ニーズ
- 他社との明確な差別化, 競合優位性あるデータ取得

パイプラインの早期導出（早期事業化）に必要なもの（その2）

➤ 知的財産戦略

- 知的財産マネジメント(特許・ノウハウ)
- 権利の明確化

➤ 創薬研究人材

- 研究者⇒事業化できる創薬研究者
- アントレプレナーシップ

➤ コストリダクション

- 競争取引
- 優先順位付け

革新的な医薬品創出に向けてベンチャーがやるべきこと

□ 独自技術・アセットの研鑽

- ✓ 事業化を指向した技術アップデート
- ✓ 競争力のあるデータ取得の推進

□ オープンイノベーションの推進

- ✓ アサーティブコミュニケーション
- ✓ ロールアンドレスポンスビリティ
- ✓ グローバル/ローカル

□ 成功事例の蓄積

- ✓ 業界の垣根を超えた成功事例を学ぶ(ITベンチャーなど)
- ✓ 成功者

行政への期待

□ 国内臨床試験実施の推進

- ✓ 臨床試験にかかるレギュレーション
- ✓ 日本発新薬開発(前例主義の脱却←評価システムの構築)
- ✓ 国際的意義

□ バイオベンチャーへの優遇措置

- ✓ 特許制度
- ✓ 薬価制度

□ 製薬企業との連携推進

- ✓ バイオベンチャーと提携した製薬企業へのインセンティブ

□ 補助金・助成金の充実

- ✓ AMEDにおけるアカデミアとベンチャーの分離
- ✓ 補助事業の充実

