



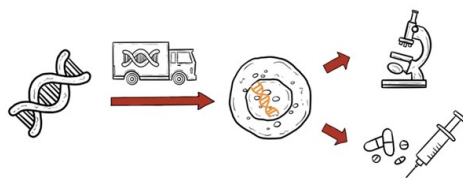
遺伝子医薬品を医薬品産業の第3の柱に

シカゴ大学終身教授から事業家に転身した科学者が率いる 年平均成長率85%企業の挑戦 (1)

2022年10月3日 ベクタービルダー・ジャパン株式会社

遺伝子医薬品を、病気に苦しむ人の手に届く価格で提供できるように

新型コロナウイルスが社会にもたらした変化の一つとして、組み換えウイルスやmRNAワクチンへの関心の高まりが挙げられます。これらは、目的の遺伝子を体内に届ける「遺伝子デリバリー技術」の一例です。



「一部の専門家の間では、今後10年から20年の間に、遺伝子医薬が低分子薬やタンパク質基盤の生物製剤に次ぐ医薬品の第3の柱になると予測しています。」と、ベクタービルダー社創業者のBruce Lahn博士は熱を込めて語ります。



ベクタービルダー社の創業者
最高科学責任者
Bruce Lahn博士

「そのニーズに対応すべく、研究開発能力と製造能力を拡大し、研究をより効率的にすること。そして遺伝子医薬品を効果的に製造し、患者の手に届く価格で提供できるように、革新的な遺伝子デリバリー技術の開発をリードすること。それがベクタービルダーの使命です。」

Lahn博士はハーバード大学卒業後、MITで博士号を取得し、1999年に30歳でシカゴ大学人類遺伝学部にAssistant Professorのポジションを得ました。翌2000年にはHoward Hughes Medical InstituteのPIとなり、37歳でシカゴ大学人類遺伝学部のディスティンクイッシュト終身教授になった気鋭の科学者です。これまでに、筆頭著者またはコレスポンディングオーサーとして80以上の論文を含む100以上の論文を発表し（平均IF≒11.5）、合計8つの特許を取得しました。また、多くの公的研究機関やバイオテクノロジー企業の設立にも関わりました。

そのLahn博士が、遺伝子・細胞治療の発展と遺伝子デリバリーの市場需要の発展を予見し、2014年に設立したのがベクタービルダー社です。

ベクタービルダー社は、顧客がオンラインでベクター（※）を設計・注文することをサポートできる世界で唯一の商業ベクタープラットフォームを提供しています。同社は、世界中の4,000以上の研究機関や製薬会社に120万以上の遺伝子導入ソリューションを提供し、毎年30万以上のプロジェクトが生産に移され、その成果はScience、Nature、Cellなどのトップ科学誌に広く引用されています。過去5年間の年平均成長率は85%にも上り、快進撃を続けています。

（※）ベクター：目的の遺伝子を細胞や個体に導入する「運び屋」の役割を果たす物質

ベクタービルダー社のホームページでは、世界中の顧客が設計したベクターの総数がリアルタイムで表示されています。

<https://www.vectorbuilder.jp/>



遺伝子医薬品を医薬品産業の第3の柱に

シカゴ大学終身教授から事業家に転身した科学者が率いる 年平均成長率85%企業の挑戦（2）

2022年10月3日 ベクタービルダー・ジャパン株式会社

基礎から臨床まで ベクタービルダー社の戦略と成長

更に近年では、ベクタービルダー社は臨床応用の遺伝子導入までのフルチェーンのソリューションを提供し、遺伝子導入分野のグローバルリーダーに発展しています。

2019年に開始した遺伝子デリバリーのCDMO事業では、研究初期のベクター構築から、前臨床試験用のベクター製造、GMPグレードのベクター製造まで、遺伝子医薬品の研究開発の全パイプラインを通じて、最新施設と高度な設備を使用した製造を実施しています。

現在は2施設が稼働中ですが、それらの施設に加え、4年後の完成を目指して総工費約600億円を投じて中国広州市に新しいR&Dおよび製造センターを建設しています。この新しい施設では、CDMO事業・CRO事業だけでなく、遺伝子デリバリー分野の科学者・技術者の育成を目的とした教育活動も行います。



4年後のフル稼働を目指す
「遺伝子デリバリー研究
製造キャンパス」(完成
予想図)

また、2021年から2022年にかけて、GMPグレードのベクター製造能力向上のため、ユニバーセルズテクノロジー社、Pall Corporation社と戦略的パートナーシップを提携しました。

Lahn博士：

「製薬業界は、低分子医薬品と高分子タンパク質医薬品の2つの革命をすでに経験しており、次の革命は遺伝子・細胞治療薬になるでしょう。遺伝性希少疾患から、循環器疾患、パーキンソン病、アルツハイマー病、さらにはエイズ、脳

障害など、より多くの場面で遺伝子医薬品の適用範囲を示す臨床例が増えつつあります。

遺伝子医薬の最大の難関は、遺伝子をいかにして目的の臓器・細胞に届けるかというデリバリープロセスです。ベクタービルダー社は、十数種類のウイルスデリバリーシステム、mRNA+LNPなどの化学的デリバリーシステムなど、研究および臨床で使用されるほぼすべての遺伝子デリバリーシステムをカバーしています。それぞれのシステムに対して、デリバリーソリューション設計から臨床グレード遺伝子医薬のGMP生産まで、一貫通貫で対応できるサービスを提供します。

研究用の遺伝子デリバリーサービスの市場は年間100億米ドル程度と推定されています。臨床CROサービスやCDMOサービスの市場もおそらく同程度の規模であり、今後大きな成長が期待されます。」

ベクタービルダー社の戦略は着々と実を結びつつあり、2022年7月には立て続けに大きな進展がありました。」

- ◆ ベクタービルダー社のGMPレンチウイルスベクターが、登録番号MF28220で、米国FDA CBERのDMF (Drug Master File) に登録されました。
- ◆ ベクタービルダー社のレンチウイルスベクターがアメリカFDAのIND承認を得ました。
- ◆ 韓国のStand Up Therapeutics社と世界初の痙攣性対麻痺の遺伝子治療ベクター製造契約を締結しました。ベクタービルダー社は今後、Stand Up Therapeutics社が設計した遺伝子治療製品を製造し供給します。
- ◆ さらにその翌月には、細胞・遺伝子治療企業の中国のLantu Biopharma社と提携し、メンケス病に対する遺伝子治療の医師主導治験をサポートしていることを発表しました。
- ◆ また、研究および創薬コミュニティ向けの「AAV Superbank」の構築を発表しました。この開発には今後40.6億円（30ミリオンUSドル）が出資されます。



遺伝子医薬品を医薬品産業の第3の柱に

シカゴ大学終身教授から事業家に転身した科学者が率いる 年平均成長率85%企業の挑戦 (3)

2022年10月3日 ベクタービルダー・ジャパン株式会社

日本市場でのベクタービルダー社の成長

ベクタービルダー・ジャパン株式会社代表取締役の亦勝実穂博士は、「日本ではアメリカ本国に次ぐ成長を実現しています。ですが、日本市場にはまだ伸びしろがあると分析しています」と語ります。

亦勝博士：

「今年は日本免疫治療学会、日本遺伝子細胞治療学会、日本RNA学会の附設展示会に出展し、確かな手ごたえを得ました。今年はこの後、BioJapan（パシフィコ横浜）と分子生物学会（幕張メッセ）でも出展およびセミナーを行います。BioJapanでは、GMP製造についてプレゼンテーションを行います。分子生物学会では、ベクタービルダーの名を冠した特設会場で、社内外の講演者を招いてエキサイティングなセミナーを実施します。皆様のご来場を心からお待ちしています。」



2022年7月に開催された日本RNA学会附設展示会のブース

大きな社会的価値の実現を目指して

大学の研究者として数々の輝かしい業績を挙げたLahn博士ですが、現在はシカゴ大学終身教授の職をすっぱりと辞し、ベクタービルダー社の事業に邁進する日々を送っています。

折角のポストなのにもったいないのではという声に対して、Lahn博士は「大学の研究室では科学的な成果が最高の報酬です。企業では実現できる社会的な価値がもっともっと大きいのです。」と軽やかに微笑みます。

独創的でハリケーンのようにパワフルでフットワークの軽いLahn博士の下には、ビジョン・価値観に共鳴する多くの専門家が集まり、今日も知恵を絞り、汗をかき、時には口論をしながら、遺伝子・細胞治療の未来に向けて奮闘しています。



あなたもベクタービルダーと共に
革新的遺伝子デリバリーに挑戦しませんか？

ベクタービルダー・ジャパン株式会社

〒222-0033 神奈川県横浜市港北区新横浜2-12-16

✉ service-jp@vectorbuilder.com

☎ 045-628-9207



最先端の「遺伝子デリバリー研究製造キャンパス」

ベクタービルダーは総工費500ミリオンドルの 「遺伝子デリバリー研究製造キャンパス」建設に着手しました

2022年4月11日 ベクタービルダー・ジャパン株式会社

CRO、CDMOだけでなく、技術開発・人材育成も行う総合施設として

2022年4月7日、遺伝子デリバリーソリューションの世界的リーダーであるVectorBuilder Inc.は、中国広州市に新しいR&Dおよび製造センターを建設すると発表しました。

「遺伝子デリバリー研究製造キャンパス」は、VectorBuilderの研究開発能力と、研究用およびcGMPグレードの遺伝子デリバリーベクターの生産能力を大幅に拡大し、画期的な研究への支援の増強とトランスレーショナルメディシンのさらなる推進をグローバルレベルでサポートします。

このキャンパスには、CDMO施設、CRO施設そして研究所が建設されます。CDMO施設は、最新の設備と機器を備えた30の生産スイートを持ち、プラスミドDNA、mRNA、AAV、レンチウイルス、細胞株、その他のウイルス、また非ウイルスベクターのcGMP製造拠点となります。CRO施設は、ベクターの最適化、ベクター機能評価、GLPまたはnon-GLPに対応したベクター生体内分布、ADME/PK/PDと毒物学研究などの受託サービス拠点となります。キャンパス内研究所には、新しい遺伝子デリバリー技術の開発に専念する研究員が所属し、遺伝子デリバリーツールの改良開発研究を行います。それによって遺伝子治療・ベクター型ワクチン・ウイルス型がん治療薬などのターゲッティング効率、遺伝子搭載率・安全性の改善、製造コストの低減を図ります。さらに、急速に拡大する遺伝子デリバリー分野の科学者・技術者の育成を目的とした教育活動もこのキャンパスで行われます。

建設費は500ミリオンドル（日本円で約600億円）で、今後4年間で2段階に分けて建設されます。完成すると約100,000平米の延べ床面積に、2,000人以上のスタッフが活躍する当社の研究製造拠点となります。このプロジェクトは、VectorBuilderのグローバル展開の一環であり、今後米国、欧州、日本に研究開発および製造拠点の追加が計画されています。

VectorBuilderのチーフサイエンティストであるブルース・ラン博士は、次のように述べています。「現代生物学は主に遺伝子デリバリー技術に沿って進歩してきました。しかし、最近までこれらの技術は研究用途に限られていました。近年の遺伝子医学の進歩をみると、CAR-T、遺伝子治療、mRNAワクチン、腫瘍溶解性ウイルスなどの遺伝子ベクターが臨床応用に急速に移行しています。一部の専門家の間では、今後10年から20年の間に、ベクター基盤薬が低分子薬やタンパク質基盤の生物製剤に次ぐ医薬の第3の柱になると予測しています。そのニーズに対応すべく、我々は研究開発能力と製造能力を拡大し、研究をより効率的に、そして遺伝子医薬品を効果的に製造し、患者の手に届く価格で提供できるように、革新的な遺伝子デリバリー技術の開発をリードし続けます。」



4年後のフル稼働を目指す「遺伝子デリバリー研究製造キャンパス」
(完成予想図)

VectorBuilder Inc.は、世界中の何千ものラボやバイオテクノロジー/製薬会社の信頼できるパートナーとして、VectorBuilderは基礎研究から臨床アプリケーションまで、遺伝子デリバリーツールの設計、開発、最適化ソリューションをワンストップで提供します。VectorBuilderのオンライン上のベクターデザインスタジオは、研究者をクロニングやウイルスパッケージングの退屈な作業から解放し、生命科学者が重要な研究命題の解明と発見に集中できるようサポートしています。膨大なベクターバックボーンとコンポーネントのコレクションを使ったハイスループットのベクター構築技術力に加え、顧客の依頼に1対1で対応するCROサービスや最先端のCDMO施設による小規模から大規模のベクター製造能力も備えています。

ベクタービルダー・ジャパン株式会社

〒222-0033 神奈川県横浜市港北区新横浜2-12-16

✉ service-jp@vectorbuilder.com

☎ 045-628-9207



新規アデノ随伴ウイルス(AAV)カプシドのスーパーバンク構築

ベクタービルダーは世界初のAAV Superbankの構築に 40.6億円を出資します

2022年7月6日 ベクタービルダー・ジャパン株式会社

新規アデノ随伴ウイルス(AAV)カプシドの包括的なコレクションを開発

2022年7月6日、遺伝子送達ソリューションの大手受託製造元のVectorBuilder Inc.は、研究および創薬コミュニティ向けの「AAV Superbank」の構築を発表しました。この開発には今後40.6億円（30ミリオンUSドル）が出資されます。同社はヒトの疾病治療に関連性が認められている様々な主要組織や細胞を標的とする新規アデノ随伴ウイルス(AAV)カプシドの包括的なコレクションを開発し、詳細な生体分布データをSuperbankにデポジットします。このSuperbankは広く研究コミュニティに公開され、非営利組織に所属する研究者への研究使用目的には無料で、営利組織での使用にはライセンス料の負担で利用できるようにします。

組換えAAVは、様々な研究および臨床用途として、遺伝子治療のツールとしては最もホットな遺伝子送達ベクターです。AAVの指向性、すなわち体内の特定の組織への標的的特異性は、ウイルスの外殻を形成するカプシドタンパク質の構造に依存しています。現在、一般的に使用されているAAVカプシドバリエーションは12種類以上ありますが、各カプシドが標的とする組織内の細胞種類まで詳しく同定されていないことはもちろんのこと、バリエーション数もそれほど多くないため、主要なヒト組織を包括的にカバーするにはほど遠いことが現実です。さらに特定の組織に標的指向性を示しても、標的効率や特異性に劣ることもあり、治療効果を達成するために大量のウイルスが投与されることがあり、大量のウイルスの一過剰投与による重大な毒性のリスクや高い製造コストが問題になってきます。

これらの問題を解決するため、VectorBuilderは革新的なライブラリ構築技術とAIディープラーニングを組み合わせ、非常に効果的なAAVカプシドスクリーニングプラットフォームを開発しました。

VectorBuilderのチーフサイエンティストであるBruce Lahn博士は、「このプラットフォームにより、膨大なカプシド空間配列を迅速に、かつ合理的なコストで調査することができるようになります。当社では非ヒト霊長類(NHP)を使い、新規カプシドのスクリーニングを実施するプラットフォームを既に持ち、このプロジェクトに活用します。当社のスーパーバンクは、NHPで得られた結果がヒトにトランスレーションされ、情報が整っていることが最大の特徴になります。既に当社のNHPを使ったAAVカプシド指向性進化プラットフォームは、当社のR&Dおよび受託研究プロジェクトでその力を発揮しています。既に特定の組織の標的化が劇的に改善された新しいカプシド類も同定しています。これら新しいカプシドには、脳血液関門(BBB)の通過効率が桁違いに高いカプシドや、網膜の錐体および桿体細胞を特異的に標的とするカプシドも含まれています。

「私たちの計画は、NHPを直接スクリーニングプラットフォームとして用い、すべての主要組織と重要な細胞タイプを、高効率、高特異性で集合的に標的とするカプシドの大規模なパネルを同定および検証することです。かつ遺伝子治療における副作用を軽減するために毒性と免疫原性の低いカプシドをスクリーニングすることも計画しています。」とLahn博士が述べています。さらに、「AAV Superbankが完成するまでに数年はかかるでしょう。しかし急成長する遺伝子医学分野に大きな貢献をもたらすことが明らかです。当社は努力する価値があるとして、計画を推進します。」と述べました。



ベクタービルダー社の創業者
最高科学責任者
Bruce Lahn博士

ベクタービルダー・ジャパン株式会社

〒222-0033 神奈川県横浜市港北区新横浜2-12-16

✉ service-jp@vectorbuilder.com

☎ 045-628-9207