



2025 年10月16 日

各 位

会 社 名 サンバイオ株式会社
代 表 者 名 代表取締役社長 森 敬太
(コード番号:4592 東証グロース)
問い合わせ先 執行役員管理本部長 角谷 芳広
(TEL.03-6264-3481)

**アクーゴ®脳内移植用注の製造販売承認事項一部変更承認
及び承認条件変更の可否についての部会審議結果のお知らせ**

本日、厚生労働省の薬事審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会において、「再生医療等製品「アクーゴ脳内移植用注」の製造販売承認事項一部変更承認及び承認条件変更の可否について」が審議され、承認して差し支えないと判断されましたことをお知らせいたします。

今後は、この審議結果を踏まえて厚生労働省による一部変更にかかる承認がなされ、薬価収載を経た後に、アクーゴ®脳内移植用注(一般名:バンデフィテムセル、以下アクーゴ®)の発売を予定しています。なお、アクーゴ®は、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺に対する治療薬として、2024年7月に世界に先駆けで日本で初めて条件及び期限付き承認がなされた世界初の脳を再生する治療薬です。

【承認条件についての説明】

アクーゴ®は2024年7月31日に条件及び期限付き製造販売承認を得て、以下の4つの条件が付されました。本日の部会において、サンバイオが提出した申請資料は以下の承認条件①を満たしたものとして、出荷の制限が示された条件を解除して差し支えないと判断されました。なお、アクーゴ®は、条件及び期限付承認の枠組みで承認されており、昨年の承認から7年間の期限内に本承認を取得する計画に変更はありません。

[2024年7月31日時点に付された承認条件]

- ① 本品の製造実績が限られていることを踏まえ、あらかじめ定めた計画に基づき、本品の品質に関する情報を速やかに収集するとともに、治験製品と本品との品質の同等性/同質性を評価し、結果を報告すること。また、当該結果を踏まえ、必要な承認事項一部変更承認申請を行うこと。承認事項一部変更承認申請が承認されるまでの間、本品の出荷を行わないこと。
- ② 緊急時に十分対応できる医療施設において、外傷性脳損傷の診断・治療及び定位脳手術手技に十分な知識・経験を持つ医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、本品が使用されるようにすること。
- ③ 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと。
- ④ 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中、本品の作用機序を反映する生物学的特性に関する情報を収集し、品質管理戦略の改良等の必要な措置を講じること。

今後の展望

今後は、中長期成長戦略に沿って、米国市場で、外傷性脳損傷の疾患をターゲットに事業活動を推進します。既に、外傷性脳損傷プログラムについては、FDA(米国食品医薬品局)から臨床試験フェーズ3の試験デザインについて合意を得ており、来期から臨床試験に向けた準備を行っていく予定です。また、国内においても、来期に、脳梗塞プログラムの臨床試験について、PMDA(独立行政法人 医薬品医療機器総合機構)と協議を開始する予定です。当社は再生医療分野のグローバルリーダーとなることを目指し、企業価値最大化を図ってまいります。

なお、本件が今期の業績へ与える影響については、軽微であると認識しています。

本資料には、サンバイオ株式会社(以下「当社」という)に関連する予想、見通し、目標、計画等の将来に関する記述が含まれる可能性があります。これらは、当社が現在入手している情報に基づく、本資料の作成時点における予測等を基礎として記載されています。また、これらの記述のためには、一定の前提(仮定)を使用しています。これらの記述または前提(仮定)は主観的なものであり、将来において不正確であることが判明したり、将来実現しない可能性があります。このような事態の原因となりうる不確実性やリスクは多数ありますが、これらに関する追加情報については、当社の決算短信、有価証券報告書をご参照ください。なお、本資料における将来情報に関する記述は、上記のとおり本資料の日付(またはそこに別途明記された日付)時点のものであり、当社は、それらの情報を最新のものに随時更新するという義務も方針も有しておりません。

以上



2025年10月16日
サンバイオ株式会社

アクーゴ®脳内移植用注の製造販売承認事項一部変更承認 及び承認条件変更の可否についての部会審議結果のお知らせ

本日、厚生労働省の薬事審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会において、「再生医療等製品「アクーゴ脳内移植用注」の製造販売承認事項一部変更承認及び承認条件変更の可否について」が審議され、承認して差し支えないと判断されましたことをお知らせいたします。

今後は、この審議結果を踏まえて厚生労働省による一部変更にかかる承認がなされ、薬価収載を経た後に、アクーゴ®脳内移植用注(一般名:バンデフィテムセル、以下アクーゴ®)の発売を予定しています。

なお、アクーゴ®は、外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺に対する治療薬として、2024年7月に世界に先駆けて日本で初めて条件及び期限付き承認がなされた世界初の脳を再生する治療薬です。

【承認条件についての説明】

アクーゴ®は2024年7月31日に条件及び期限付き製造販売承認を得て、以下の4つの条件が付されました。本日の部会において、サンバイオが提出した申請資料は以下の承認条件①を満たしたものと、出荷の制限が示された条件を解除して差し支えないと判断されました。なお、アクーゴ®は、条件及び期限付承認の枠組みで承認されており、昨年の承認から7年間の期限内に本承認を取得する計画に変更はありません。

[2024年7月31日時点に付された承認条件]

- ① 本品の製造実績が限られていることを踏まえ、あらかじめ定めた計画に基づき、本品の品質に関する情報を速やかに収集するとともに、治験製品と本品との品質の同等性／同質性を評価し、結果を報告すること。また、当該結果を踏まえ、必要な承認事項一部変更承認申請を行うこと。承認事項一部変更承認申請が承認されるまでの間、本品の出荷を行わないこと。
- ② 緊急時に十分対応できる医療施設において、外傷性脳損傷の診断・治療及び定位脳手術手技に十分な知識・経験を持つ医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、本品が使用されるようにすること。
- ③ 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと。
- ④ 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中、本品の作用機序を反映する生物学的特性に関する情報を収集し、品質管理戦略の改良等の必要な措置を講じること。

代表取締役社長の森は次のように述べています。

『『成人の脳は再生しない』——。ノーベル賞を受賞したスペインのCajal博士の発見は、100年以上にわたり常識となってきました。しかし、私たちはその定説に挑み、脳の再生という人類の夢を現実にすることを目指して、創業以来25年間一貫して研究開発を続けてまいりました。その結果、世界で初めての脳を再生する治療薬として、アクーゴ®を生み出すことができました。

昨年7月、アクーゴ®は条件及び期限付き承認を取得しましたが、出荷に向けてさらなるデータの蓄積と検証を要する大きな壁に直面しました。しかし、全社員一丸となり、この1年間実直にその実績を積み重ねてまいりました。そして本日、ようやくその成果が認められ、アクーゴ®を患者さんのもとに届けられるようになった

(参考)プレスリリース

ことを心より嬉しく思います。外傷性脳損傷に苦しむ患者さんご家族に、アクーゴ®を通じて新たな希望をお届けできるよう、誠心誠意取り組んでまいります。」

参考情報

製品概要

販売名	アクーゴ®脳内移植用注
一般名	バンデフィテムセル
効能・効果	外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善
用法・用量	通常、成人にはヒト(同種)骨髄由来間葉系幹細胞として、生細胞5 × 10 ⁶ 個(300 μ L)の細胞調製液を、専用投与機器セットを用いた定位脳手術により、損傷した組織の周辺部に移植する。 頭蓋骨の小孔1箇所を通り損傷周辺部に至る3つの移植経路から、1移植経路あたり細胞懸濁液100 μ Lを最深部から5 ～6 mm間隔で5箇所、1箇所あたり20 μ L移植する。注入速度は約10 μ L/minとする。移植に際しては、以下を行うこと。 1．手術開始前に脳神経外科用侵襲式頭部固定具に専用投与機器セットのガイド&ストップ、スタイレットを備えたインサーターを取り付ける。 2．脳内移植用細胞剤を融解し、専用調製液を用いて洗浄した後、移植濃度1.67 × 10 ⁶ 個/100 μ Lになるように専用調製液で調製し、細胞懸濁液とする。専用投与機器セットの投与カニューラを固定したマイクロシリンジを専用調製液により清浄化した後、細胞懸濁液を充填する。
有効性評価の概要	国際共同第Ⅱ相臨床試験(TBI-01試験:米国、日本、ウクライナ) 多施設共同偽手術対照無作為化二重盲検比較試験;本品群及び偽手術群に3:1で無作為に割付(本品群:2.5 × 10 ⁶ 個群、5.0 × 10 ⁶ 個群、10.0 × 10 ⁶ 個群) 試験成績: ＜有効性＞主要評価項目の24週目におけるFMMSのベースラインからの変化量は、各用量群を併合したSB623群(46例)で8.3 ± 10.6、偽手術群(15例)で2.3 ± 4.7と、統計学的に有意な差が認められた(平均値 ± 標準偏差、p=0.0401)。
製造販売承認取得日	2024年7月31日

製品画像



脳内移植用細胞剤バイアル

(参考)プレスリリース



ドライシッパー



輸送用ハードケース及びドライシッパー



専用調製液



専用調製液外箱



専用投与機器セット



専用投与機器セット外箱

外傷性脳損傷について

外傷性脳損傷は交通事故や転倒などで頭部に外から強い力が加わり、頭蓋内の脳組織が傷つくことで起こります。外傷性脳損傷の症状の現れ方は多様であり、現れるまでの期間も患者さんによって違います。また、損傷を受けた脳の部位によって、運動機能障害、高次脳機能障害などの後遺症が生じる場合があることも特徴です。損傷を受けた脳組織の自然回復は難しいと言われており、慢性期に入り運動麻痺が定着した患者さんは、日常生活や社会生活における影響を生涯に渡って抱えることになります。この外傷性脳損傷は、世界中の主な死因および障害の原因の一つとなっており、2016年の世界の急性外傷性脳損傷の新規患者数は2,700万人(推定)、外傷性脳損傷に続発する慢性障害の患者数は5,550万人(推定)でした¹。外傷性脳損傷および外傷性脳損傷に続発する長期に渡る運動機能障害は、患者の自立、雇用、および QOLを著しく損ない、総じて各国の医療システムの大きな負担になっています。米国では、外傷性脳損傷で入院し生存した患者の約43%が長期の運動機能障害を経験しており²、317万人が外傷性脳損傷に続発する運動機能障害を長期に抱えて生活していると推定されています³。

(参考)プレスリリース

アクーゴ®脳内移植用注について

アクーゴ®脳内移植用注は、健康成人骨髄液由来の間葉系間質細胞を加工・培養して作製されたヒト(他家)骨髄由来加工間葉系幹細胞(国際一般名:バンデフィテムセル)です。脳内の損傷した神経組織に移植するとFGF-2(タンパク質の一種)が放出され、損傷した神経細胞が本来持つ再生能力を促し、神経細胞の増殖・分化を促進する効果が期待されています。バンデフィテムセル(SB623)は、厚生労働省より再生医療等製品として「先駆け審査指定制度」の対象品目として指定されました。米国では、米国食品医薬品局(U.S. Food and Drug Administration:FDA)よりRMAT(Regenerative Medicine Advanced Therapy)指定を、欧州では欧州医薬品庁(European Medicines Agency:EMA)より先端医療医薬品(Advanced Therapy Medicinal Product:ATMP)の指定を受けています。

アクーゴ®の有効性評価概要について

アクーゴ®の有効性評価は主にSTEMTRA試験で行われました。STEMTRA試験は外傷性脳損傷に起因する慢性期運動機能障害を有する患者を対象に、主要開発品バンデフィテムセル(SB623)の有効性及び安全性を検討することを目的としたフェーズ2多施設共同偽手術対照無作為化二重盲検比較試験です。試験では、適格と判断された患者さん63名がSB623低用量群(2.5×10^6 個群)、SB623中用量群(5.0×10^6 個群)及びSB623高用量群(10.0×10^6 個群)及び偽手術群に1:1:1:1で無作為化され、46名にSB623が投与され、15名が対照群として偽手術を受けました。本臨床試験の主要評価項目である24週時点のFugl-Meyer Motor Scale (FMMS)のベースラインからの改善は、SB623移植後又は偽手術実施後24週目に評価され、SB623投与群では偽手術を受けた対照群と比較して有意な改善が認められました(SB623投与群で8.3点[1.4]、対照群で2.3点[2.5], p 値=0.04)。48週時点のFMMSのベースラインからの改善は、SB623投与群全体では偽手術を受けた対照群と比較して有意差が認められなかったものの、中用量群(5.0×10^6 個群)では、有意な改善が認められました(SB623中用量群で10.5点[1.8]、対照群で4.1点[1.8], p 値=0.02)。さらに、SB623投与群では、48週時点のAction Research Arm Test (ARAT)、歩行速度、NeuroQOL上肢・下肢機能評価で運動機能および日常生活動作のベースラインからの改善がみられました。また、SB623は、これまでの結果と同様に良好な忍容性を示し、新たな安全性上の懸念は認められませんでした。

サンバイオについて

サンバイオは、再生医療分野でのグローバルリーダーを目指すというビジョンを掲げ、2001年に米国・カリフォルニア州で創業し、再生医療等製品の研究、開発、製造及び販売を手掛ける事業を展開しています。既存の医療・医薬品では対処できず、アンメットメディカル・ニーズが高い中枢神経系領域の疾患を主な対象として、研究開発及び事業化を進めております。東京に本社、カリフォルニア州に子会社を置くサンバイオグループの詳細は、<https://www.sanbio.com>にてご覧いただけます。

<出典>

¹James SL, et al. “Global, regional, and national burden of traumatic brain injury and spinal cord injury, 1990–2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016.” Lancet Neurol 2019;18:56–87.

²Selassie AW, et al. “Incidence of long-term disability following traumatic brain injury hospitalization, U.S.”, 2003. J Head Trauma Rehabil 2008;23:123–31

³Zaloshnja E, Miller T, Langlois JA, Selassie AW. Prevalence of long-term disability from traumatic brain injury in the civilian population of the United States, 2005. J Head Trauma Rehabil. 2008 Nov–Dec;23(6):394–400.

本資料には、サンバイオ株式会社(以下「当社」という)に関連する予想、見通し、目標、計画等の将来に関する記述が含まれる可能性があります。これらは、当社が現在入手している情報に基づく、本資料の作成時点における予測等を基礎として記載されています。また、これらの記述のためには、一定の前提(仮定)を使用しています。これらの記述または前提(仮定)は主観的なものであり、将来

(参考)プレスリリース

において不正確であることが判明したり、将来実現しない可能性があります。このような事態の原因となりうる不確実性やリスクは多数ありますが、これらに関する追加情報については、当社の決算短信、有価証券報告書をご参照ください。なお、本資料における将来情報に関する記述は、上記のとおり本資料の日付(またはそこに別途明記された日付)時点のものであり、当社は、それらの情報を最新のものに随時更新するという義務も方針も有しておりません。

本件に関するお問い合わせ先

サンバイオ株式会社

管理本部

メール: info@sanbio.com