



We Believe the Possibilities

ひとりのかけがえのないいのちのために

# ステラファーマ株式会社 事業計画及び成長可能性に 関する事項について

# 目次

1. 会社概要	P. 3
2. BNCTとは	P. 8
3. ビジネスモデル	P.12
4. 成長戦略	P.20
5. 市場規模	P.40
6. 業績推移・リスク情報	P.45
Appendix	P.50



1. 会社概要

# 会社概要



商号	ステラファーマ株式会社 (STELLA PHARMA CORPORATION)
設立	2007年6月1日
本社	大阪府大阪市中央区高麗橋3丁目2番7号
事業内容	BNCT（ホウ素中性子捕捉療法）に使用されるホウ素医薬品の開発及び製造販売
資本金	3,563百万円（2021年4月22日時点）
代表取締役会長	浅野 智之
代表取締役社長	上原 幸樹
従業員数	41名（2021年5月現在）
事業所	さかい創薬研究センター（大阪府堺市中区） 東京事務所（東京都中央区）
許認可	第一種医薬品製造販売業（大阪府）



## 2007年設立以降、BNCTの研究開発を継続。2020年3月**世界初**の製造販売承認を取得

2007年6月	ステラケミファ株式会社(証券コード:4109)の100%子会社としてステラファーマ株式会社設立
2008年7月	第一種医薬品製造販売業許可を取得(大阪府)
2009年1月	開発品SPM-O11が科学技術振興機構 <sup>(※1)</sup> の委託開発課題に採択 (※1)現在は日本医療研究開発機構に移管
2012年11月	開発品SPM-O11の日本における 脳腫瘍 第I相臨床試験を開始 (脳腫瘍の対象は、再発悪性神経膠腫患者)
2014年4月	開発品SPM-O11の日本における 頭頸部癌 第I相臨床試験を開始 (頭頸部癌の対象は、切除不能な局所再発頭頸部癌及び切除不能な局所進行頭頸部癌(非扁平上皮癌)患者)
2016年2月	開発品SPM-O11の日本における 脳腫瘍 第II相臨床試験を開始 (脳腫瘍の対象は、再発悪性神経膠腫患者)
2016年3月	株式会社産業革新機構 <sup>(※2)</sup> 、住友重機械工業株式会社を引受先として、第三者割当増資を実施 (※2)現 株式会社INCJ
2016年7月	開発品SPM-O11の日本における 頭頸部癌 第II相臨床試験を開始 (頭頸部癌の対象は、切除不能な局所再発頭頸部癌及び切除不能な局所進行頭頸部癌(非扁平上皮癌)患者)
2017年4月	開発品SPM-O11が先駆け審査指定制度の対象品目(医薬品)として指定
2019年11月	メラノーマ/血管肉腫を対象に、開発品SPM-O11の第I相臨床試験(日本)を開始
2020年3月	BNCT用ホウ素薬剤「ステボロニン <sup>®</sup> 点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL (以下「ステボロニン <sup>®</sup> 」) (開発品コード: SPM-O11)」について「切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌」に対しての製造販売承認を取得
2020年5月	ステボロニン <sup>®</sup> 保険適用、販売を開始
2020年10月	株式会社スズケン、株式会社ハイメディックを引受先として、第三者割当増資を実施
2021年4月	東京証券取引所マザーズ市場へ上場



# 当社事業の強み – Strengths –

## ① 世界初の「BNCT」の薬事承認

これまで世界的にBNCT領域で薬事承認を受けた事例は無く、当社は**世界初**のBNCT用ホウ素医薬品「ステボロニン®」の薬事承認を取得いたしました。

## ② パートナーとの連携による競争優位性

BNCTに必要な不可欠なBNCT用中性子照射装置（加速器）は、住友重機械工業株式会社を含めた複数の加速器メーカーと開発段階から連携しています。

## ③ グループ間での連携体制

BNCTに必要な不可欠な原料の高濃縮ホウ素は、当社の親会社であるステラケミファ株式会社が**国内で唯一**、その濃縮技術を有しており、当社は安定した供給を受けております。

## ④ 高い成長可能性

当社は現在、再発脳腫瘍等を対象とした開発を国内で進めております。BNCTは新たな治療法であり、**ブルーオーシャン**の分野です。世界からも唯一BNCT用承認薬を有する当社との提携を望む声が増えています。BNCTを全世界へ拡大していくと共に、高い成長を目指します。

# マネジメントメンバー

経験豊富なメンバーによるマネジメント推進体制



## 代表取締役会長 浅野 智之

1996年4月橋本化成(株) (現 ステラケミファ(株)) 入社、  
2007年6月当社取締役、専務取締役を経て2012年2月当社  
代表取締役社長、2020年6月より現職

## 代表取締役社長 上原 幸樹

2003年4月ステラケミファ(株)入社、2012年4月当社取締  
役研究開発部長を経て2019年6月当社 常務取締役開発本部  
長、2020年6月より現職



### 取締役 藪 和光

1981年4月橋本化成工業(株)  
(現 ステラケミファ(株)) 入社、  
同社営業部長、取締役専務執  
行役員を経て2015年4月当  
社 代表取締役会長、2020年  
6月より現職

### 取締役 管理本部長 藤井 祐一

2007年2月(株)ファーマ  
フーズ入社、2010年(株)ト  
リドール (現 (株)トリドール  
ホールディングス) を経て  
2016年8月当社入社、  
2018年6月より当社 取締  
役管理本部長就任

### 取締役 (監査等委員) 永田 清

1979年4月塩野義製薬(株)  
入社、創業研究所長、執行  
役員を経て2017年2月当  
社入社 さかい創業研究セン  
ター長、2018年6月より  
当社 取締役 (監査等委員)  
就任

### 取締役 (監査等委員) 大西 雅也

1997年10月監査法人トー  
マツ入所、2006年8月大  
西雅也公認会計士・税理士  
事務所所長 (現任)、  
2016年3月当社 監査役、  
2018年6月より当社 取締  
役 (監査等委員) 就任

### 取締役 (監査等委員) 辻井 康平

2005年10月弁護士法人トー  
堂筋法律事務所入所、  
2014年1月同所 パート  
ナー (現任)、2018年6月  
当社 取締役 (監査等委員)  
就任

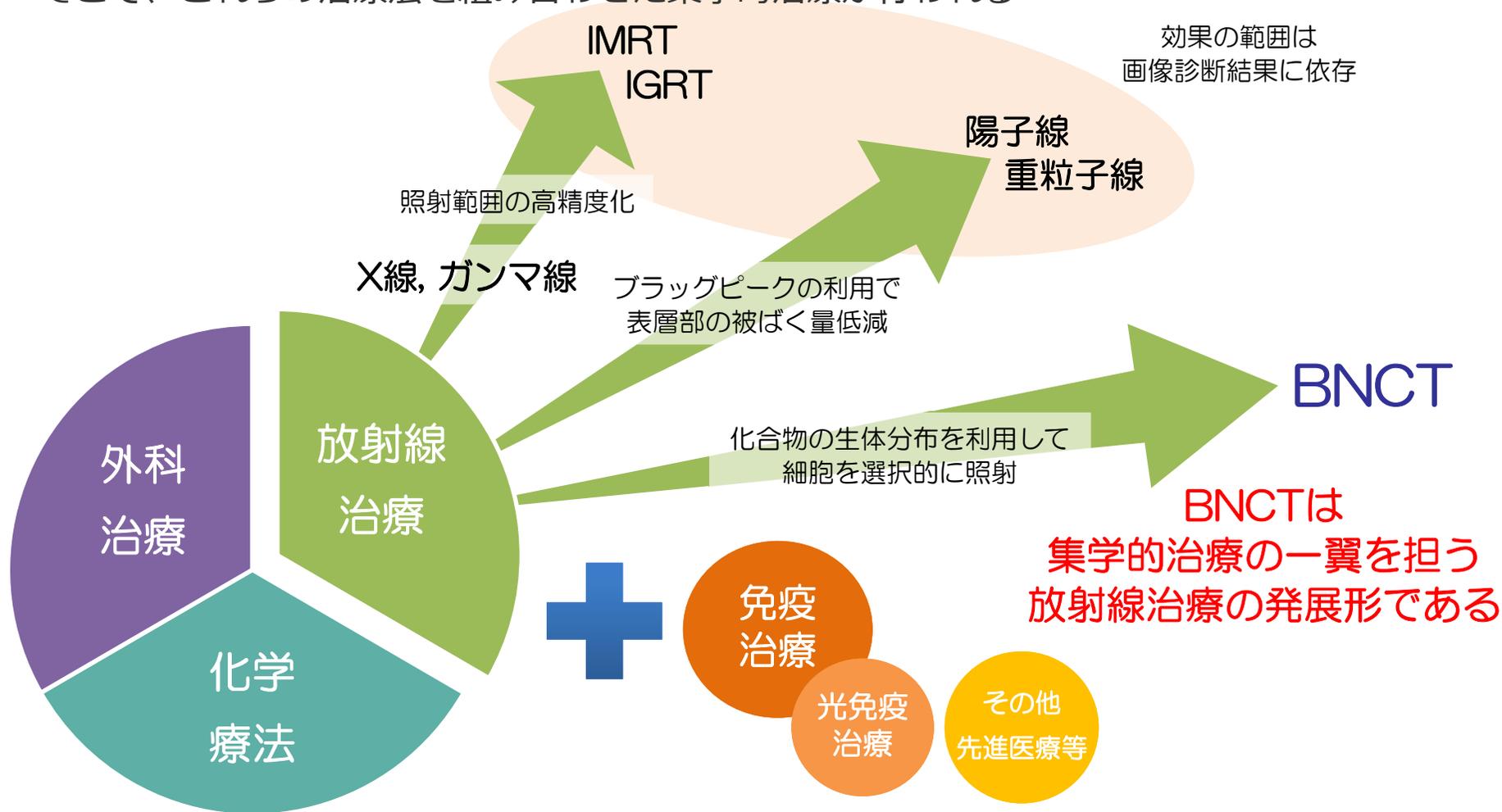


## 2. BNCTとは

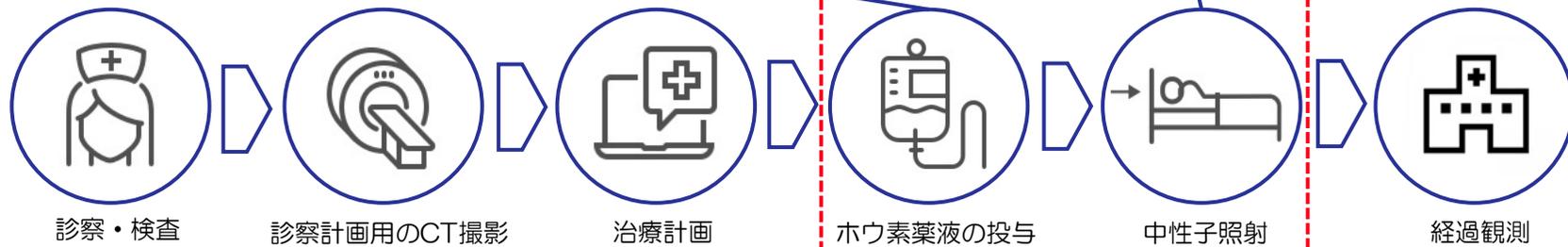
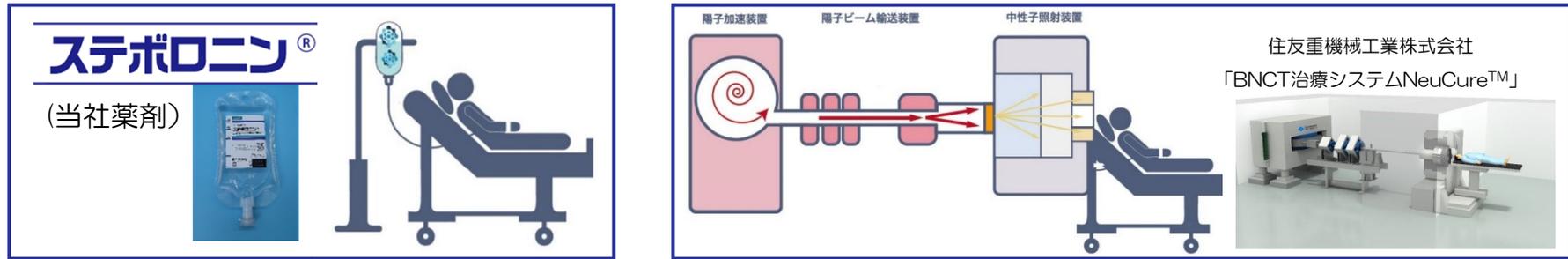
# BNCTの位置づけ

「がん」の治療には、外科療法（手術）、化学療法（抗がん剤）、放射線療法、免疫療法等、様々な治療があるが、いずれか1つをもってがんを十分に治療することは難しい

そこで、これらの治療法を組み合わせた集学的治療が行われる



# BNCTの流れ



ポイント1

1回の照射で終了

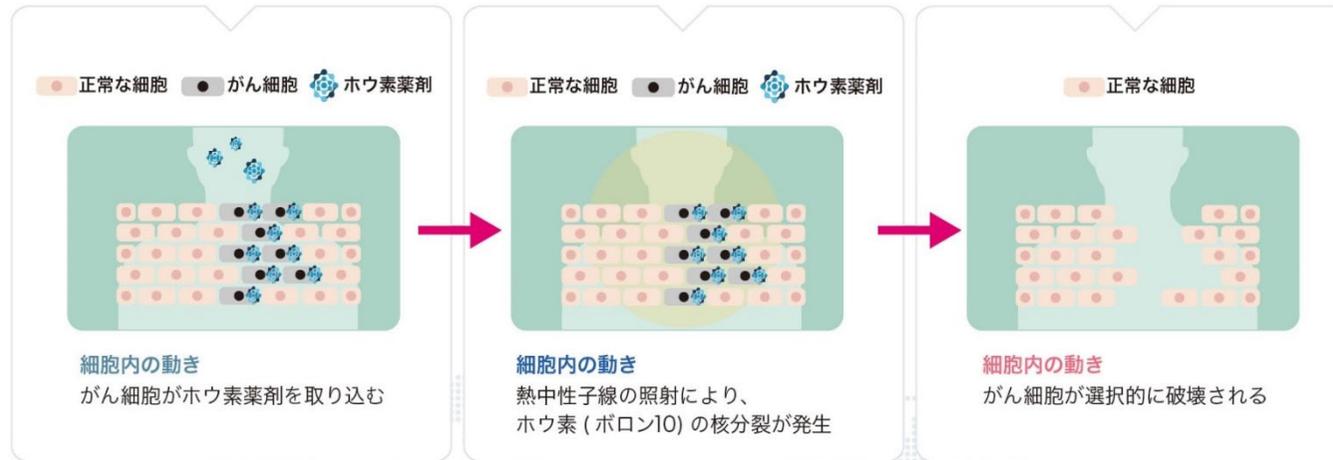
ポイント2

麻酔の必要無し

ポイント3

身体への負担が少なく、早期の日常生活への復帰が可能

# BNCTのポイント



## 有効性

- 頭頸部癌領域での高い奏効率（71.4%）
- がん細胞を選択的に破壊
- 浸透性の高いがんにも効果が期待できる

## 安全性

- 正常細胞のダメージが少ない

## 患者様のメリット

- 治療期間が短い
- 侵襲性が低い
- 放射線治療後の再発がんにも対応

項目		X線※3	陽子線※4	重粒子線※5	BNCT
治療内容 (頭頸部癌 ※1)	照射回数	35回	32回	16回	1回
	治療期間	7週間	7週間	4週間	1日
治療効果	がん細胞殺傷力※2	1	1.1	3	3以上

※1：X線、陽子線、重粒子線は代表的な照射回数及び施術期間を示す

※2：X線、陽子線、重粒子線はRBE（生物効果比）、BNCTはCBE（化合物生物効果比）

※3：頭頸部癌学会HP [http://www.ishnc.umin.ne.jp/general/section\\_05.html](http://www.ishnc.umin.ne.jp/general/section_05.html) ,※4：神戸陽子線センターHP [https://www.kobe-pc.jp/disease\\_1.html](https://www.kobe-pc.jp/disease_1.html)

※5：QST病院HP <https://www.nirs.qst.go.jp/hospital/radiotherapy/explanation/doctor06.php>



### 3. ビジネスモデル

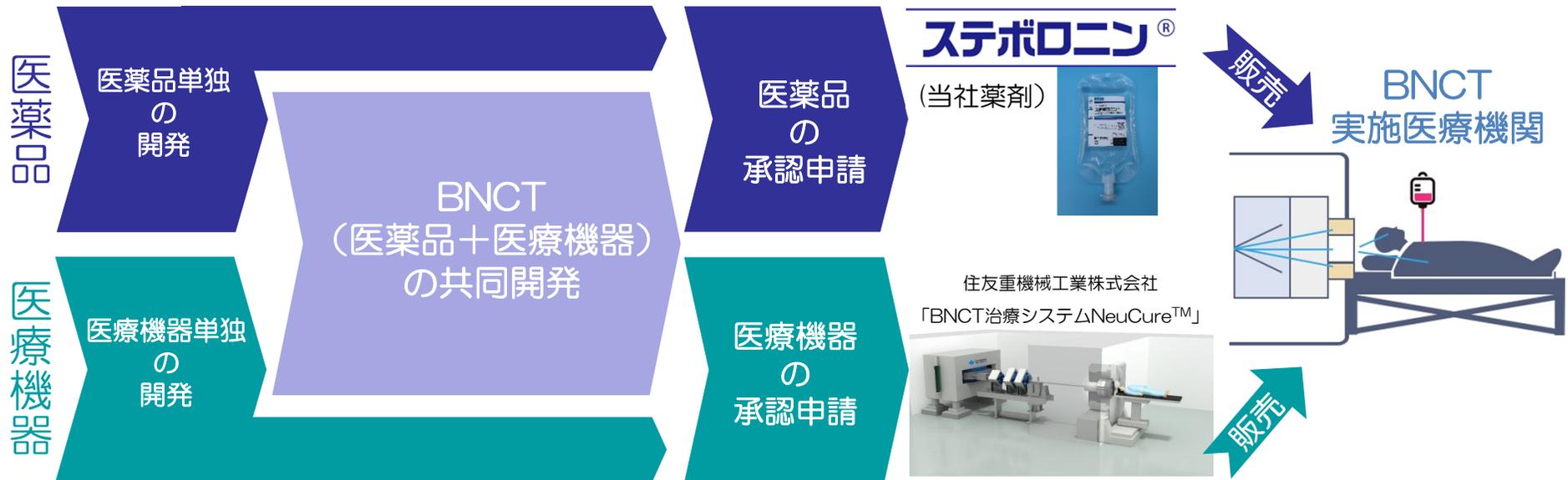
# コンビネーションプロダクトについて

## 定義

次のような場合の別々に包装される医薬品、機器、生物製品。

一緒に使用することを意図し、意図する使用、適応、または効果を達成するためにその両方を必要とする。  
そして製品の承認に関して意図する使用、剤形、投与経路、または用量の重要な変更を反映させるため、既承認の製品表示の変更を必要とする。

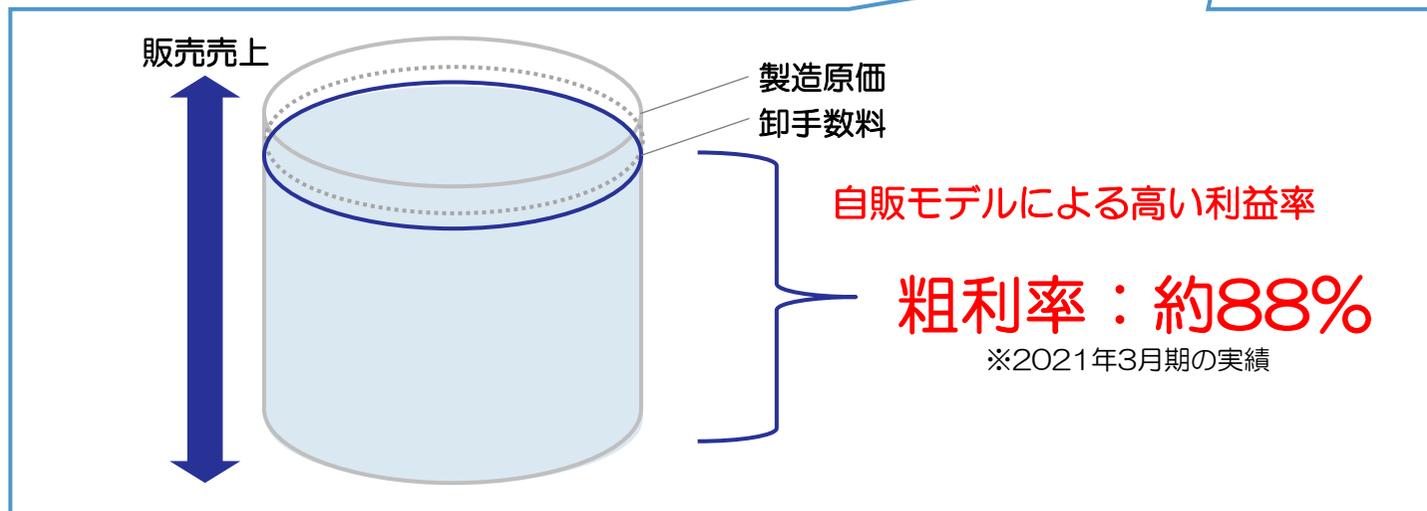
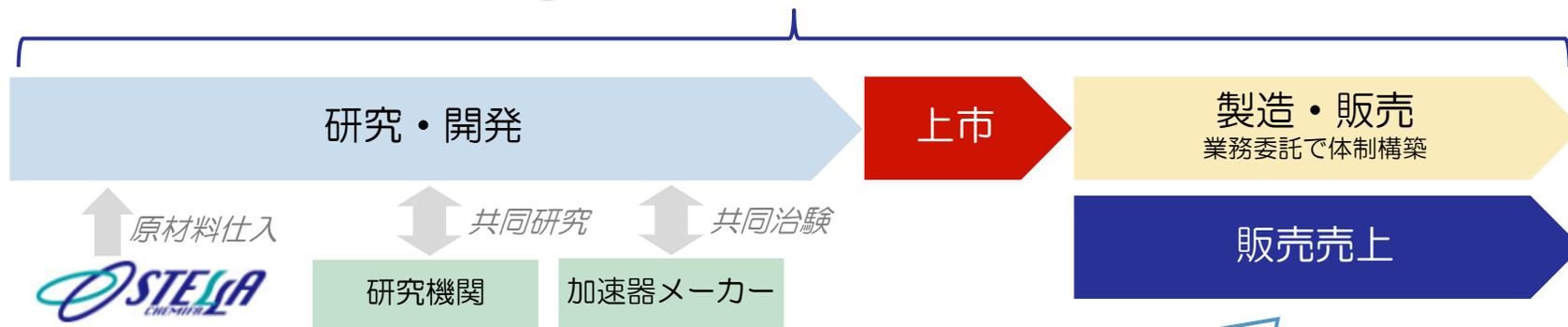
BNCT用ホウ素医薬品「ステボロニン®」とBNCT用加速器は  
コンビネーションプロダクトの関係にある。



# ビジネスモデル（国内）

## 自社開発・販売モデル

（研究・開発から上市後の製造・販売までを自社で行う）

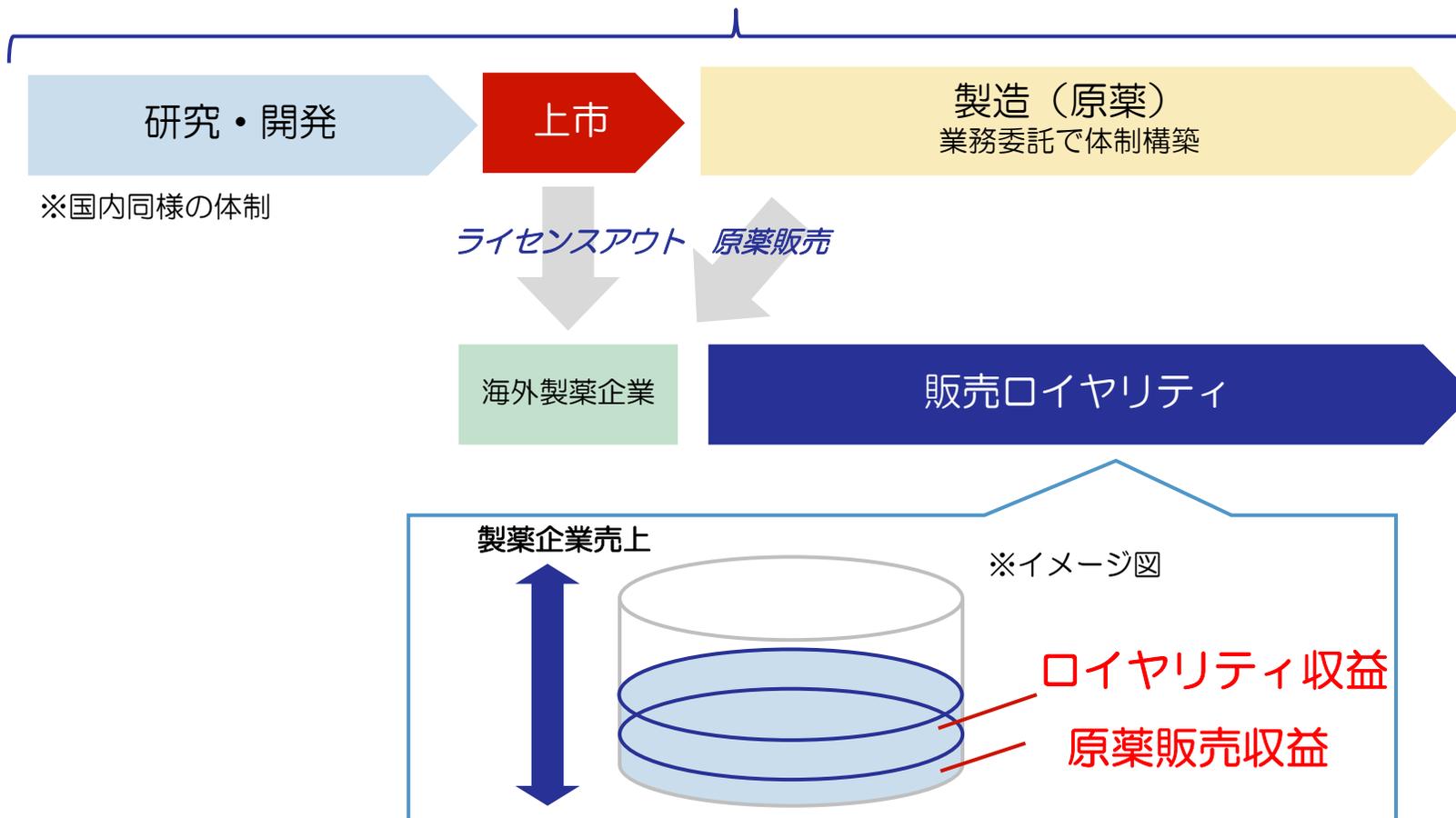


注：販売単価は、薬価（P16参照）から消費税等及び医薬品卸業者との契約に基づく手数料を控除した金額となります。

# ビジネスモデル（海外）

## 自社開発・販売ロイヤリティモデル（計画）

（海外製薬企業へライセンスアウトを想定）



# ステボロニン<sup>®</sup>の特徴



抗悪性腫瘍剤

## ステボロニン<sup>®</sup>点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL

(承認番号：30200AMX00438000)

【規制区分】

処方箋医薬品 注意：医師等の処方箋により使用すること

【一般名】

ボロファラン (10B)

【効能又は効果】

切除不能な局所進行または局所再発の頭頸部癌

【用法及び用量】

通常、成人にはボロファラン (10B) として、1時間あたり200 mg/kgの速度で2時間点滴静注する。その後、病巣部位への中性子線の照射を開始し、照射中は1時間あたり100 mg/kgの速度でボロファラン (10B) を点滴静注する。

【薬価】

444,215円/袋

01

高濃縮度  
10B

>99%\*

※自社基準

02

用時調製

不要

03

有効期間

36か月

貯法：2～8℃で保存

04

GMP  
grade

# 治療にかかる費用

ステボロニン<sup>®</sup> 点滴静注バッグ 9000 mg/300 mL

## 薬剤

体重60kgの患者様で  
1回につき **4袋使用**  
(体重により使用袋数は変動)

NeuCure<sup>TM</sup>※

## 技術料

238万5千円 (238,500点)  
2020年6月1日に医療機器も保険適応  
(総額として全ての項目に適合した場合)

※住友重機械工業株式会社  
「BNCT治療システムNeuCure<sup>TM</sup>」

## BNCT治療

1回の標準的な治療費  
約**400万円**

※ 保険診療となるため、  
高額療養費制度の適用を  
受けることができます。

## (ご参考) 他の頭頸部癌 治療法

### アービタックス (一般名：セツキシマブ)

100mg/20mL 1瓶：37,045円/瓶

1回の標準的な治療費  
約**130万円**

通常、成人には週1回、セツキシマブとして、  
初回は400 mg/m<sup>2</sup> (体表面積) を2時間かけて、  
2回目以降は250 mg/m<sup>2</sup> (体表面積) を1時間かけて  
点滴静注する。なお、患者の状態により適宜減量する。

### キイトルーダ (一般名：ペムプロリズマブ)

100mg/4mL 1瓶：242,355円/瓶

1回の標準的な治療費  
約**370万円**

通常、成人には、ペムプロリズマブ (遺伝子組換え) として、  
1回200 mgを3週間間隔で30分間かけて点滴静注する

### オプジーボ (一般名：ニボルマブ)

240mg/24mL 1瓶：413,990円/瓶

1回の標準的な治療費  
約**410万円**

通常、成人にはニボルマブ (遺伝子組換え) として、  
1回240 mgを2週間間隔で点滴静注する。

### 陽子線治療 重粒子線治療

1回の標準的な治療費  
約**237万5千円**

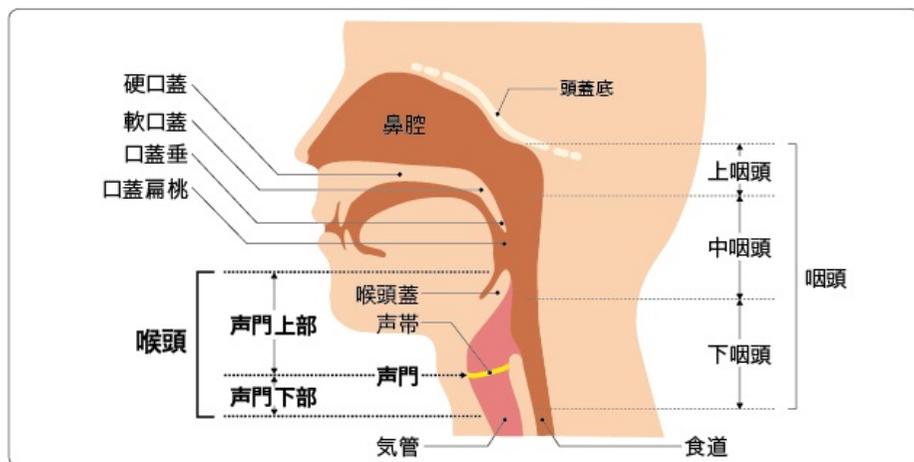
頭頸部悪性腫瘍 (口腔・咽喉頭の扁平上皮癌を除く)

注：他の治療法の薬価については以下出所元より当社算出。アービタックスは160 cm、60 kgの患者を想定。

出所：アービタックス：頭頸部がん薬物療法ガイドンス第2版 (公益社団法人 日本臨床腫瘍学会編)、キイトルーダ国際共同第Ⅲ相試験<KEYNOTE-048試験>、オプジーボ：小野薬品工業株式会社決算説明会資料

# 頭頸部癌：QOL維持の重要性

## 頭頸部癌とは



簡単に言えば、顔から首の範囲のことを指します  
具体的な部位としては、鼻、口、舌、喉、等が頭頸部で、この部位から発生するがんが頭頸部癌  
(脳、脊髄、目の部分は除く)

頭頸部は外見、食事、発声に関係する部分であり、保存治療のニーズが高く、切除手術後は舌がんの患者様をはじめとするQOLの低下が顕著

## 頭頸部癌治療におけるQOL低下

味覚喪失



発声機能障害



嚥下機能障害



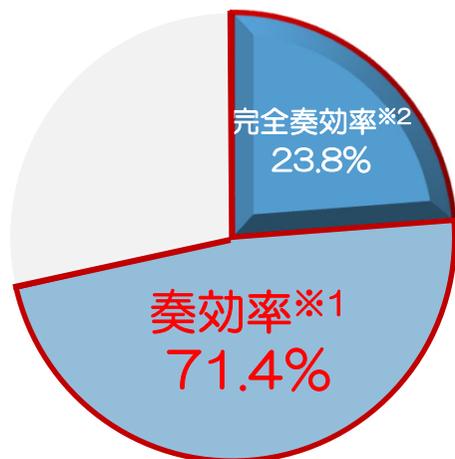
外見の変化



頭頸部癌の治療において、機能温存は患者様が強く望まれており  
BNCTへの期待は非常に大きい

# 頭頸部癌：臨床試験の結果

## 国内第II相試験（JHNO02試験）の結果



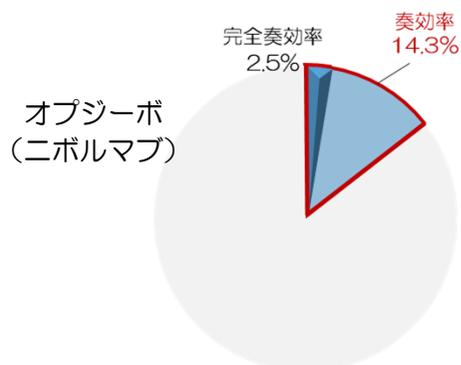
BNCTは、他の治療選択肢がない頭頸部癌患者において、**高い奏効率（腫瘍縮小効果）を示した**

腫瘍縮小効果が得られることにより、発声、嚥下、咀嚼、呼吸等の機能が温存され、**QOL(生活の質)の向上が期待できる※3**

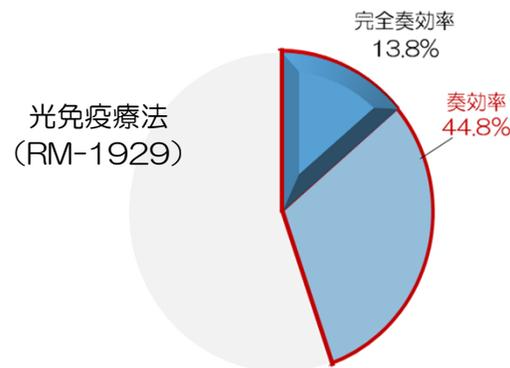
- ※1 奏効率：あるがん治療法を患者に用いた際、その治療を実施した後のがん細胞が縮小もしくは消滅したもの
- ※2 完全奏効率：完全に腫瘍が消失している
- ※3 出所：医薬・生活衛生局医薬品審査管理課「審議結果報告書」

疾患：再発扁平上皮がん、非扁平上皮がん  
出所：弊社第II臨床試験結果より新たに作成

### < ご参考：その他の頭頸部癌に対する治療成績 >



疾患：再発及び転移性扁平上皮がん  
出所： Ferris RL, et al. Nivolumab for Recurrent Squamous-Cell Carcinoma of the Head and Neck. N Engl J Med. 2016; 375: 1856-67.  
より新たに作成



疾患：再発・転移頭頸部扁平上皮がん  
出所： Cognetti, D et.al, ASCO 2018 J Clin Oncol 36,2018(suppl: abstr 6039)  
より新たに作成



## 4. 成長戦略

BNCT治療の  
普及・展開



適応疾患の  
拡大

BNCTの認知度向上による普及と海外展開

BNCTを適応できる疾患を増やす

BNCTを世の中に普及させ  
新たながん治療法としての地位の確立を目指す

# 2つのポイント

## BNCTの拡大に向けた2つのポイント

### ①BNCT治療の普及・展開

戦略1

高い奏効率、患者様のQOL維持から  
治療実績を積み重ねることで  
新たなモダリティとして認知度を拡大

戦略2

複数の加速器メーカーとの連携  
医療機関への加速器導入サポート

戦略3

日本における頭頸部癌の承認を  
海外での申請に活用

### ②適応疾患の拡大

戦略1

原子炉研究で実績ある疾患を対象とし  
開発の成功確度を高める

戦略2

細胞選択的な放射線治療という特殊性を活かし  
Unmet Medical Needsを対象とする

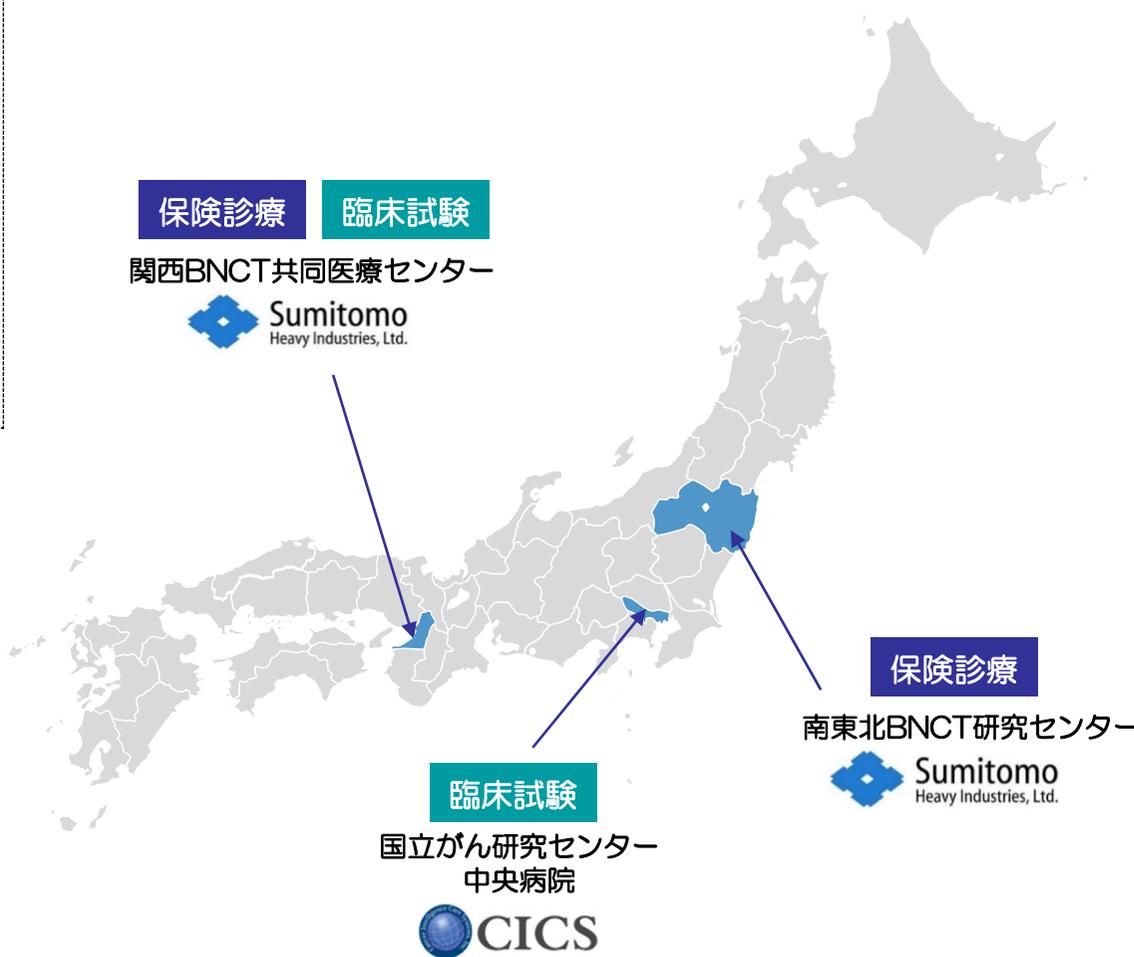
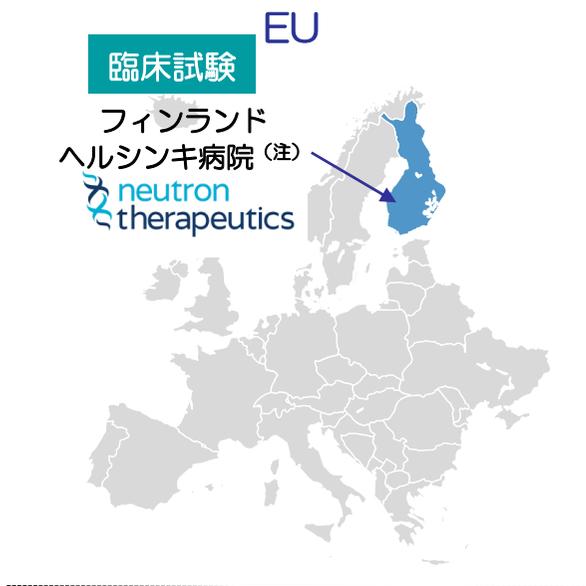
戦略3

PET検査薬を合わせて開発し  
適応疾患の拡大を加速



# BNCT加速器設置状況（現在）

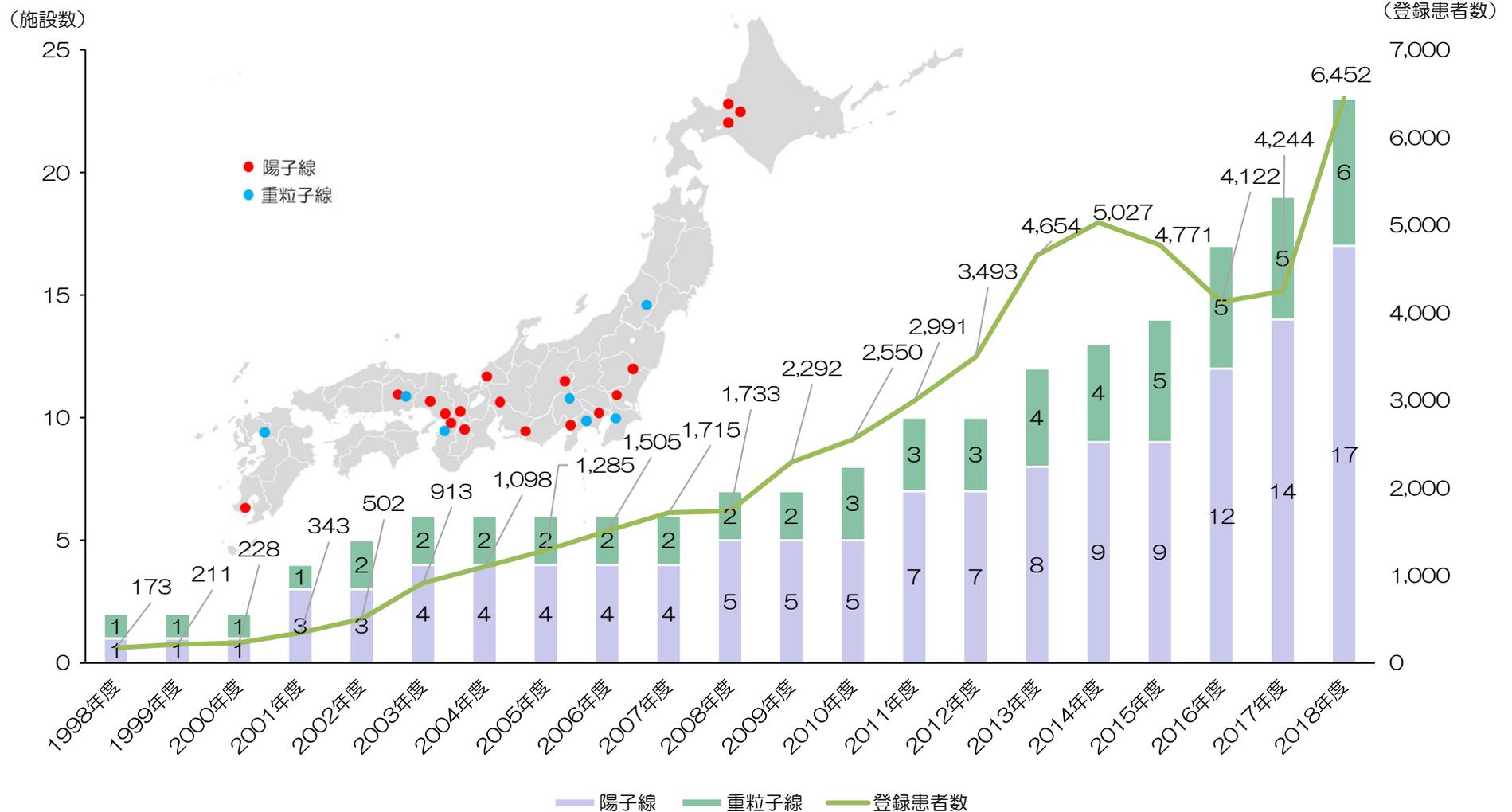
2021年4月現在施工済み



# (ご参考) 国内の粒子線施設数と登録患者数の推移

粒子線施設数は20年間で合計23施設まで拡大

— さらに2019年陽子線施設+1、2020年重粒子線施設+1⇒現在25施設



出所：公益財団法人 医用原子力技術研究振興財団

# (ご参考) 粒子線治療装置の普及台数

## 陽子線治療装置

陽子線治療は、水素という最も軽い元素の原子核（陽子）を加速し、エネルギーを高めてできる陽子線を治療に使う

治療施設（建設中のものも含む）※1

2021年現在



18施設



98施設  
(日本含む)

国内陽子線治療装置メーカー

**HITACHI**  
Inspire the Next

 **Sumitomo**  
Heavy Industries, Ltd.

**Canon**  
キヤノンメディカルシステムズ株式会社

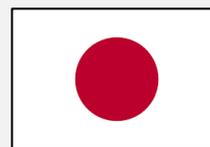
**varian**  
※日本で製造販売承認を取得

## 重粒子線治療装置

重粒子線治療は陽子（水素の原子核）よりも重い炭素イオンを使うことから、腫瘍細胞のDNAの二本鎖を切断できるなど、治療の生物学的効果が大きい

治療施設（建設中のものも含む）※2

2021年現在



7施設



11施設  
(日本含む)

国内重粒子線治療装置メーカー

**TOSHIBA**

**HITACHI**  
Inspire the Next

 **MITSUBISHI**  
**ELECTRIC**  
Changes for the Better

 **Sumitomo**  
Heavy Industries, Ltd.

※1 出所：Particle Therapy Co-Operative Group Date

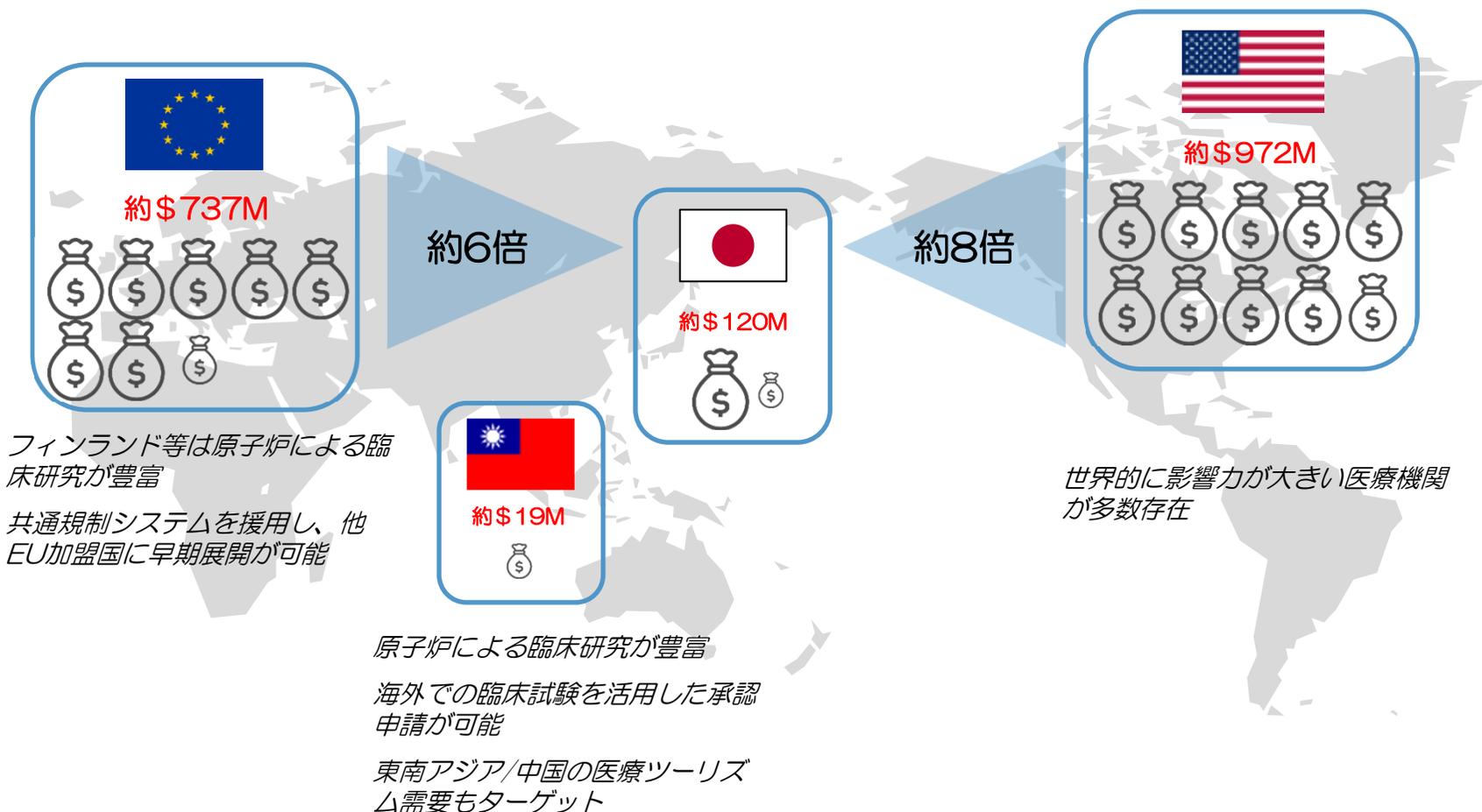
※2 出所：一般社団法人粒子線治療推進研究会 重粒子線治療ガイド

# 海外市場の可能性

## 頭頸部癌の主要な地域別の市場規模（2020年）

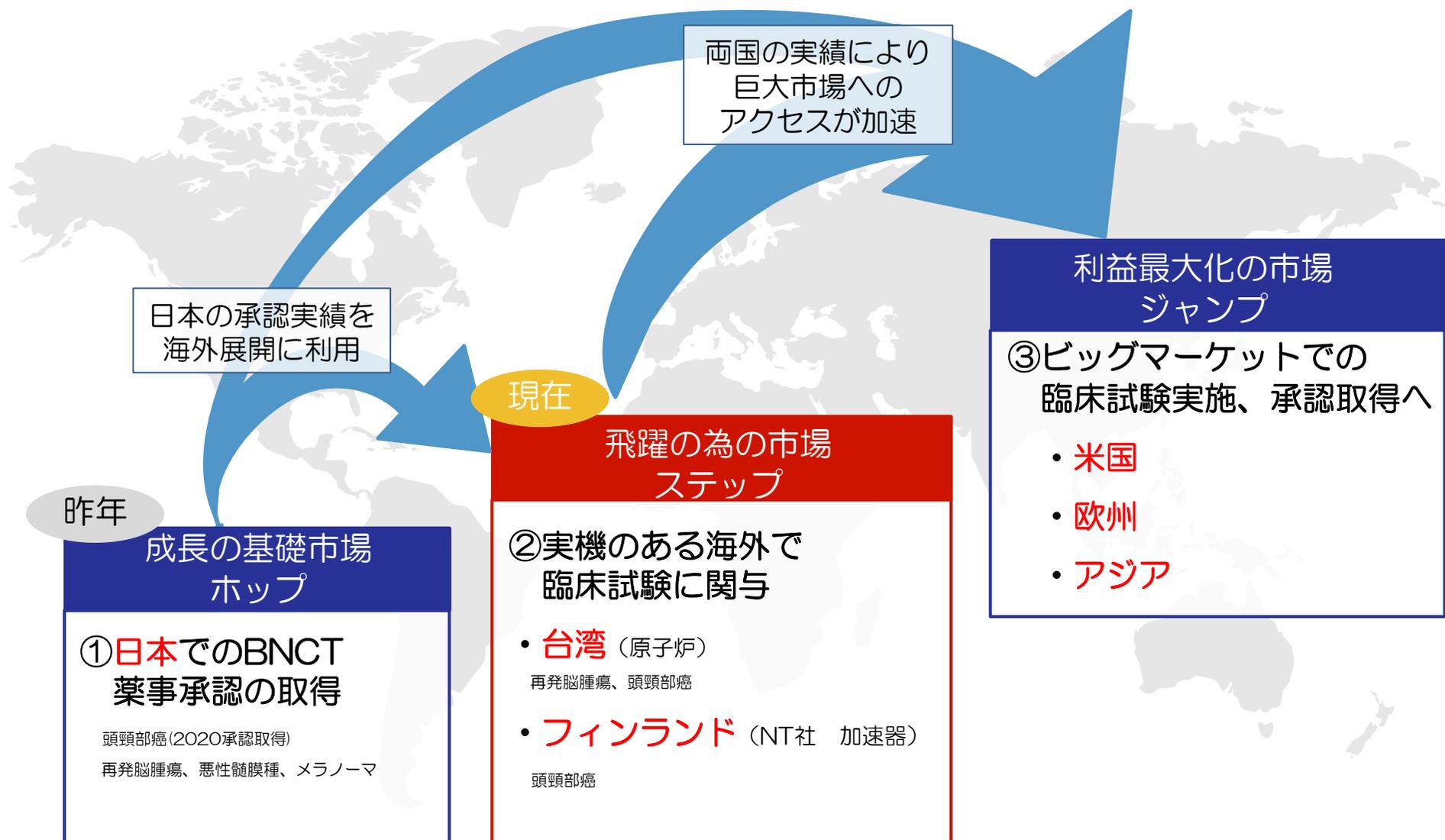
※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。

日本に対し、米国、欧州は広大なTAM（Total Addressable Market）が存在。また、日本に比べ海外はがん治療で放射線療法の比率が高く、粒子線治療の導入素地が大きい。

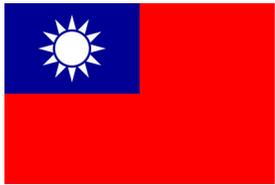


出所：Allied Market Research 2019

# BNCTの海外展開戦略



# 海外戦略：アジア展開（台湾）



BNCTの開発体制が整備され、日本とのシナジーも高い

## 1. 原子炉での豊富なBNCT臨床研究実績

台湾清華大学の原子炉THOR<sup>注1</sup>でのcompassionate use実施件数100例以上。（21年5月現在）

## 2. 原子炉を使用した再発脳腫瘍の臨床試験が開始予定

PIIが2021年に開始予定。

## 3. 台湾・日本間の研究者交流が盛ん

日本の研究及び承認実績を有効活用。2020年10月、2nd TJNCTACE<sup>注2</sup>を実施。

## 4. 製剤化が可能な製薬会社の存在

日本から輸出した原薬を地場で製剤化する技術力を持つ製薬会社が存在。

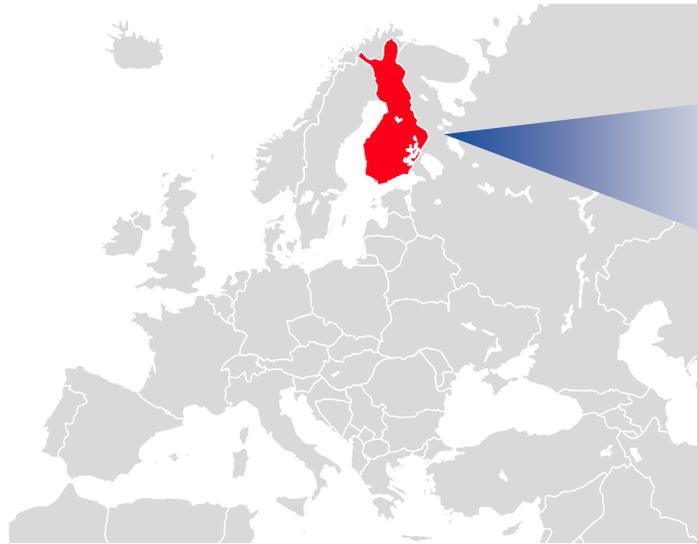


海外で臨床試験に関与できる機会が  
最も早く到来するエリア

現地製薬会社とのパートナーリングと  
原薬輸出を軸とした海外でのビジネスモデルを確立

注1：TsingHuaOpen-pool Reactorの略、注2：Taiwan Japan Neutron Capture Therapy Academic Conference of Eliteの略

# 海外戦略：欧州展開（フィンランド）



フィンランド  
ヘルシンキ大学病院

## 1. Neutron Therapeutics（以下NT）社の加速器設置完了

- 2021年に臨床試験P I 開始予定
- 疾患は日本の臨床試験データが一部利用可能な頭頸部癌

## 2. ヘルシンキ大学病院 2020年世界の優れた病院トップ50の25位 ※1

- 原子炉（2012年まで稼働）でのBNCT臨床研究を実施（約250例）。

## EU諸国に横展開



- NTはP I 終了後、CE markを取得予定
- ⇒EU加盟国へ加速器が販売可能に
- ⇒加速器が導入された病院に弊社製剤を供給する

※1 Newswell 「THE WORLD 'S BEST Hospitals 2020」

# 2つのポイント

## BNCTの拡大に向けた2つのポイント

### ①BNCT治療の普及・展開

戦略1

高い奏効率、患者様のQOL維持から  
治療実績を積み重ねることで  
新たなモダリティとして認知度を拡大

戦略2

複数の加速器メーカーとの連携  
医療機関への加速器導入サポート

戦略3

日本における頭頸部癌の承認を  
海外での申請に活用

### ②適応疾患の拡大

戦略1

原子炉研究で実績ある疾患を対象とし  
開発の成功確度を高める

戦略2

細胞選択的な放射線治療という特殊性を活かし  
Unmet Medical Needsを対象とする

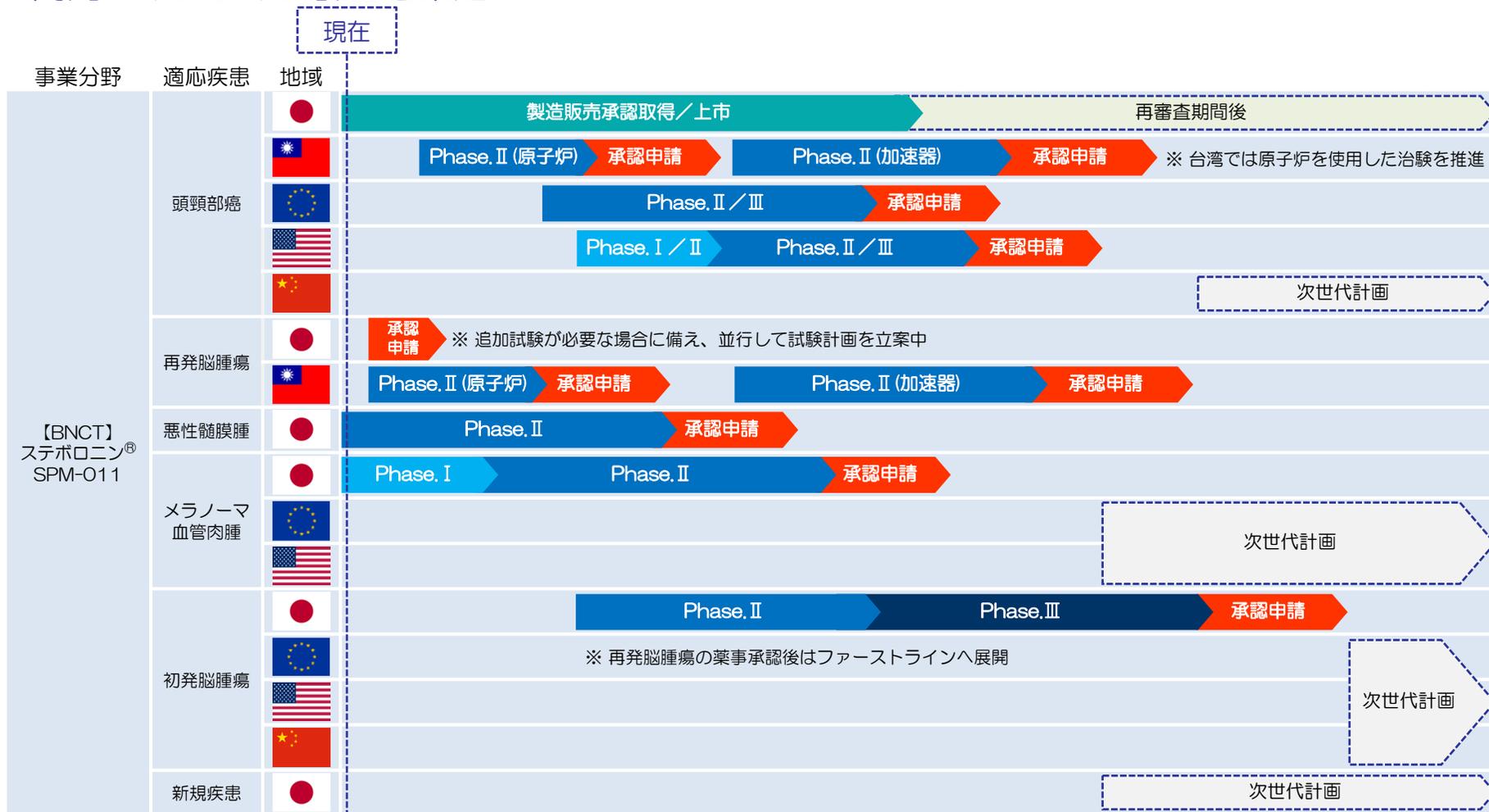
戦略3

PET検査薬を合わせて開発し  
適応疾患の拡大を加速



# 開発パイプライン計画（注）

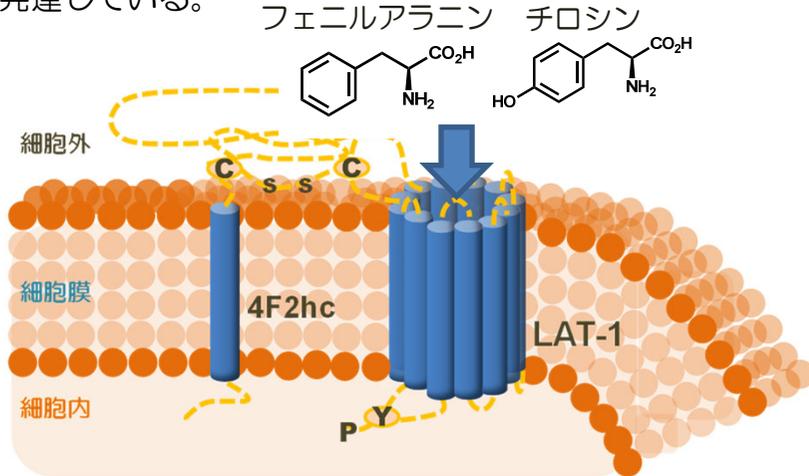
医薬品の研究開発は長期に亘ることから、15ヶ年の長期経営構想に基づいて、開発パイプライン計画を策定



注：全体としての予定を示しており、本グラフの通りに進捗することを保証するものではありません。

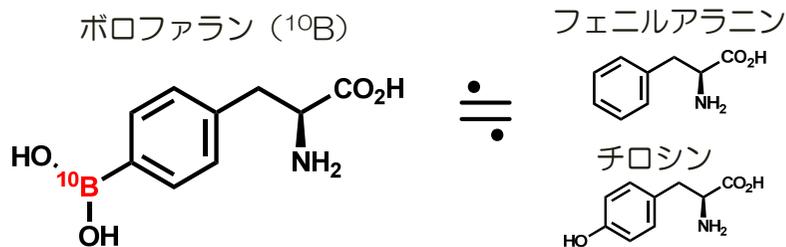
# ステボロニン<sup>®</sup>が適応疾患を拡大できる理由

がん細胞は分裂・増殖の材料となるフェニルアラニンやチロシンといったアミノ酸を取り込む仕組み（LAT-1）が発達している。



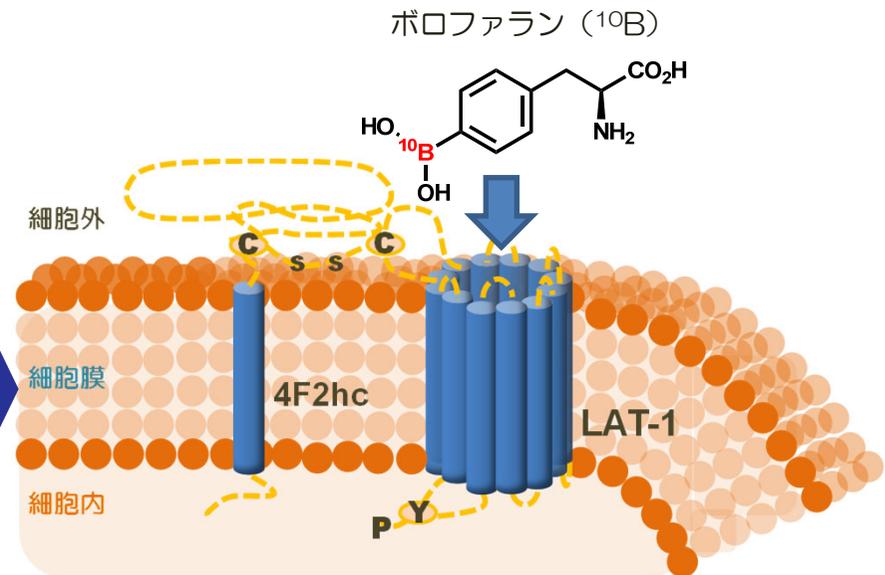
LAT1は頭頸部癌・脳腫瘍と同様に大腸癌、胃癌、乳癌、膵癌、腎癌、食道癌、肺癌などのヒト腫瘍細胞株に強発現している注

ステボロニンの有効成分（ボロファラン（<sup>10</sup>B））はフェニルアラニン、チロシンと非常によく似た形をしている。



BNCTの適応の成否条件の一つはがん細胞に多くの<sup>10</sup>Bを集めることができるかにかかっている。

ボロファラン（<sup>10</sup>B）は多くのがん細胞が本来持っている取り込み機構（LAT-1）を利用してがん細胞内に多く蓄積することができる。

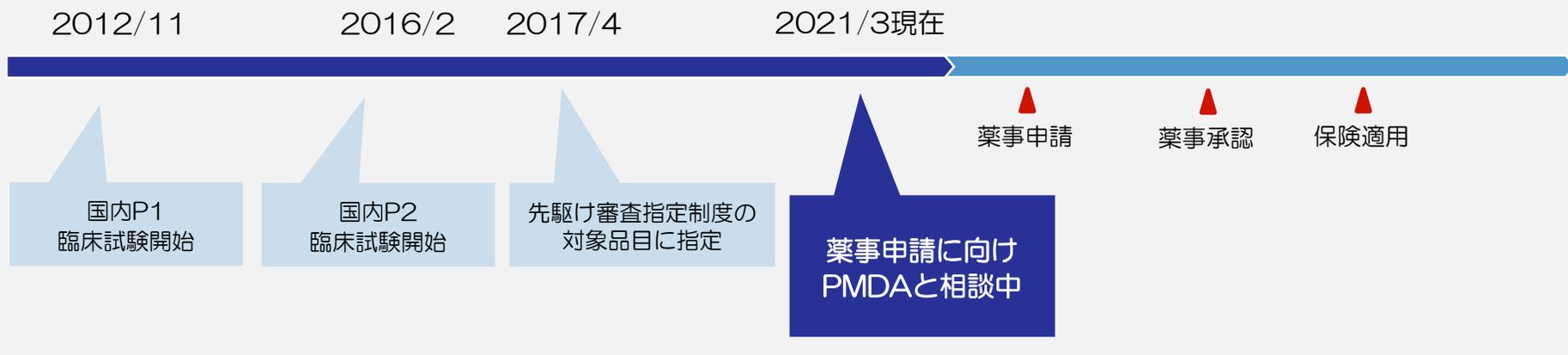


ステボロニンを使用したBNCTは様々ながんに適応できる可能性がある

注：出所 大阪大学 大学院医学系研究科 生体システム薬理学 金井 好克教授「腫瘍細胞のアミノ酸トランスポーターの発現とそれを標的とした診断と治療への応用の可能性」

# ①再発脳腫瘍

## 開発状況

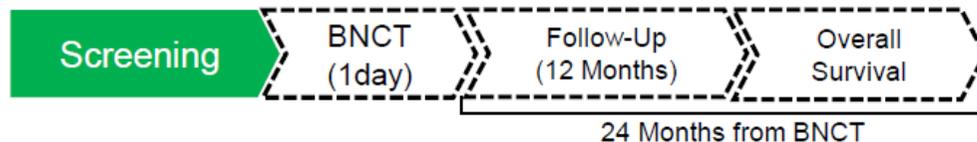


## 脳腫瘍について

- ・ 膠芽腫（グリオブラストーマ） **約2,217名**（グレードがIVと最も悪性な腫瘍）※1
- ・ 現在の治療法は、グレードⅡ～Ⅳのものは悪性の脳腫瘍で、手足の動きや言語などの機能を温存して「**手術**」でできるだけ摘出し、「**放射線治療**」や「**化学療法**」を行う

## 国内P2臨床試験

悪性グリオーマ (MG) 再発27例(24例はGBM)を対象に、BNCTを実施  
500 mg/kgのステボロニン®を用いて第II相臨床試験を実施。患者は2016年2月から2018年6月まで登録



### 臨床試験のポイント

- ①再発GBM (rGBM) の1年生存率  
・ 既存対照JO 22506との比較※2(ペバシズマブ単独国内)
- ②全生存期間 (OS) 中央値、無増悪生存期間 (PFS) 有害事象等

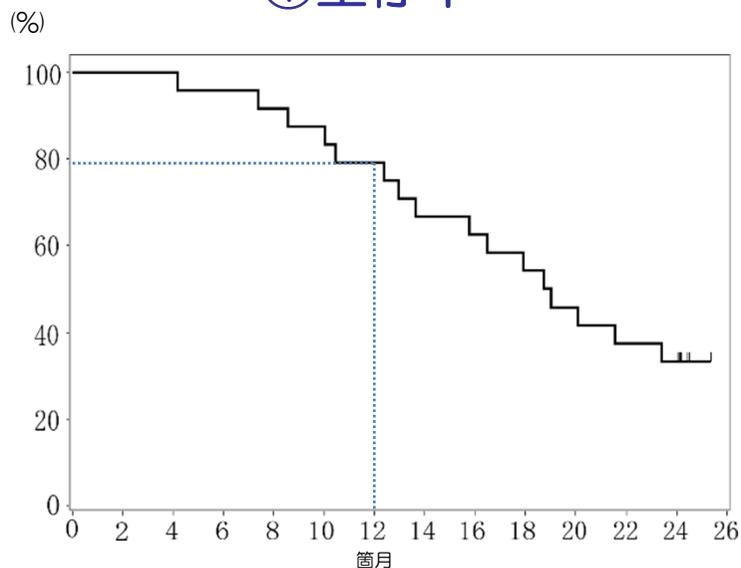
※1 出所：国立がん研究センター 希少がんセンター 脳腫瘍 主な原発性脳腫瘍と悪性度 2020年9月10日更新

※2 Nagane M, et al. Jpn J Clin Oncol. 2012;42:887-95.

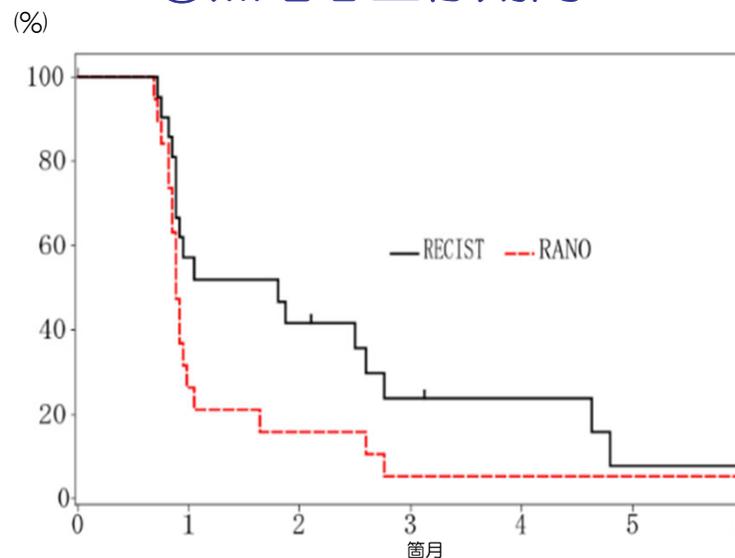
# ①再発脳腫瘍：臨床試験の結果

BNCTは再発脳腫瘍に対し安全性と長期生存を示した

## ①生存率



## ②無増悪生存期間



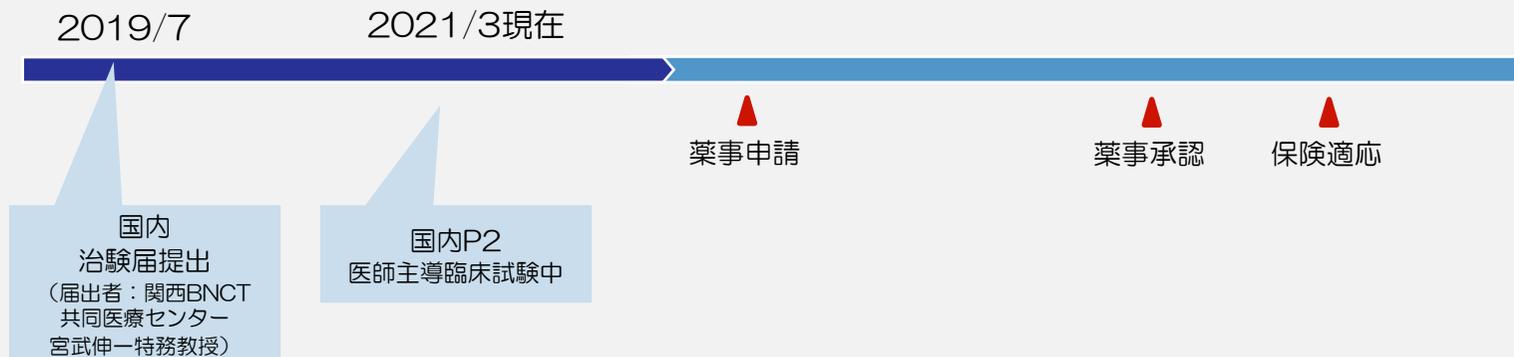
	1年生存率	生存期間中央値	無増悪生存期間中央値
BNCT (n=24)	79.2% (95%CI, 57.0-90.8%)	18.9箇月 (95%CI, 12.9-NE箇月)	0.9箇月 <sup>注1</sup> (95%CI, 0.8-1.0箇月)
(ご参考)バシズマブ <sup>注2</sup> (n=29) (JO22506 Study)	34.5% (90%CI, 20.0-49.0%)	10.5箇月 (95%CI, 8.2-12.4箇月)	3.3箇月 (95%CI, 2.8-6.0箇月)

出所：BNCTは当社治験結果、米国脳腫瘍学会 (SNO) 2020年学術大会にて発表

注1：Result of RANO assessment 注2：出所：Nagane M, et al. Jpn J Clin Oncol. 2012;42:887-95.

## ②再発高悪性度髄膜腫

### 開発状況

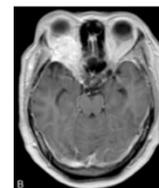


### 髄膜腫について

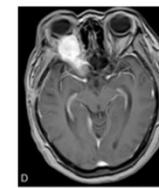
- 髄膜腫患者数※1

- グレードⅠ 約4,564名 注1
- グレードⅡ 約258名
- グレードⅢ 約60名

悪性髄膜腫

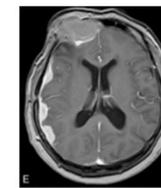


手術後3年



局所再発

手術&ガンマ  
ナイフ後1年



前頭葉および側頭の硬膜転移

BNCTの優位性

低侵襲な1回の照射で  
悪性腫瘍を選択的に  
破壊できる可能性  
||  
QOLの維持が  
期待される

- 現在の標準的治療は「手術」。再発を防ぐために腫瘍の周囲の硬膜を一緒に摘出する必要がある。
- 高悪性度髄膜腫は、手術で摘出しててもまた数年後に再発し  
**摘出を繰り返すケースもある**

※1 出所: 国立がん研究センター 希少がんセンター 脳腫瘍 主な原発性脳腫瘍と悪性度2020年9月10日更新

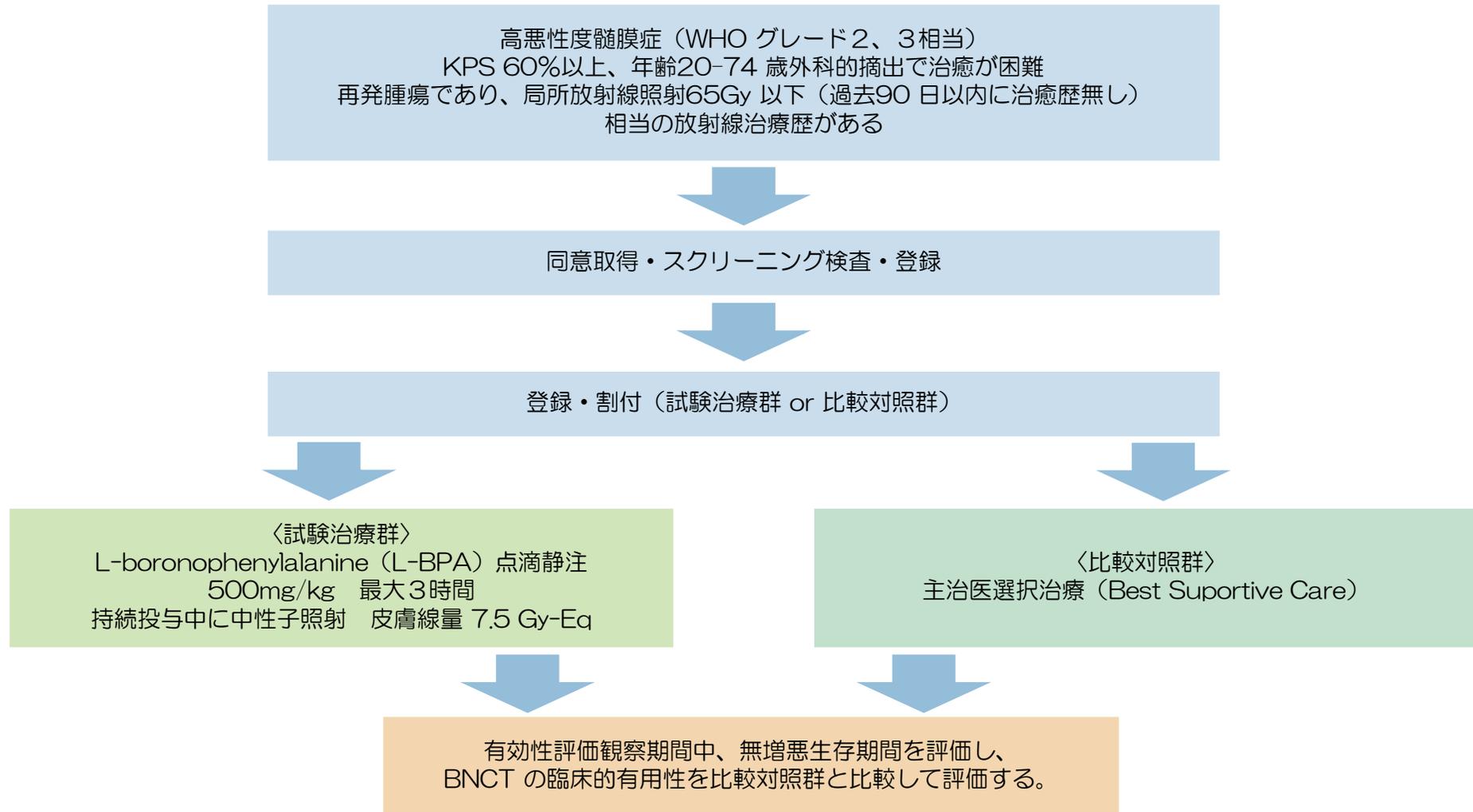
注1: 良性のグレードⅠの腫瘍 写真出所: Int J Clin Exp Med 2015;8(9):16845-16849



STELLA PHARMA

# (ご参考) 再発高悪性度髄膜腫の医師主導臨床試験

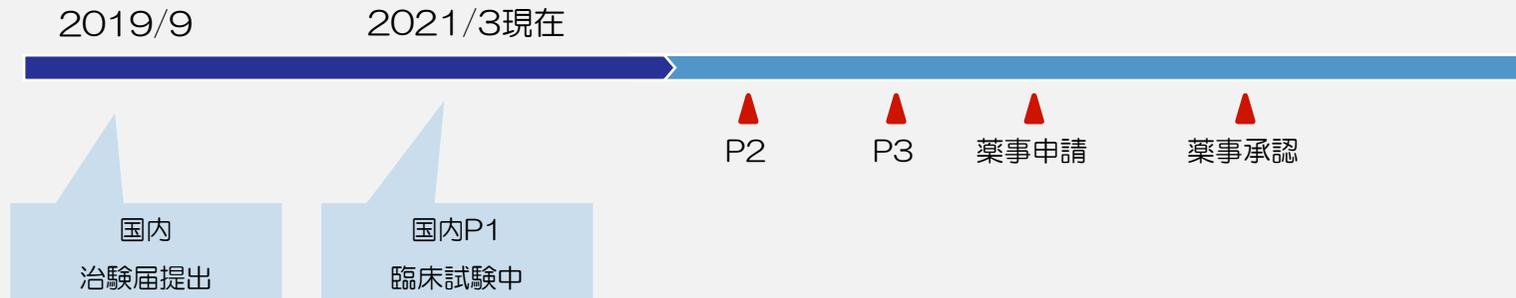
## 試験の概略 (ランダム化比較試験)



※ 比較対照群に割付られた被験者のうち評価基準に照らして画像上の増悪が認められ、本人のご希望があり BNCT実施における基準を満たしていればBNCTを受けられるレスキュー措置を設定

### ③メラノーマ/血管肉腫

#### 開発状況



#### メラノーマ/血管肉腫について

- メラノーマの発生率は人口10万人あたり1.5~2人程度（年間1,500~2,000人）※1
- 血管肉腫のうち、脈管肉腫（angiosarcoma）が約260~390人、頭部血管肉腫が約160人※2
- 現在、「外科治療」のほか、「薬物療法」、および「放射線治療」などいろいろな手段を組み合わせた「集学的治療」が行われている

【原子炉を用いた臨床研究】※3



※1 出所：公益社団法人 日本皮膚科学会

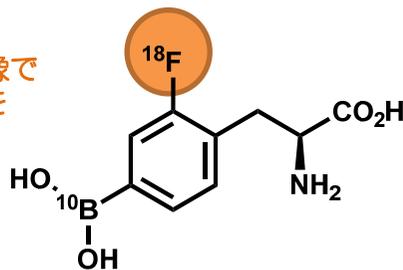
※2 出所：Colwell B: Angiosarcoma (<http://www.parkhurstexchange.com/oncology/2012-03-09>). 2012.

※3 出所：財団法人医用原子力技術研究振興財団, 日本中性子捕捉療法学会, BNCT 基礎から臨床応用まで2015

# 適応疾患の更なる拡大戦略： $^{18}\text{F}$ BPA-PETの活用

## $^{18}\text{F}$ BPA

ボロファン ( $^{10}\text{B}$ ) にPET検査画像で黒く染まるマーカー (PET核種) を結合させる



PET検査

健康成人

何も反応しない

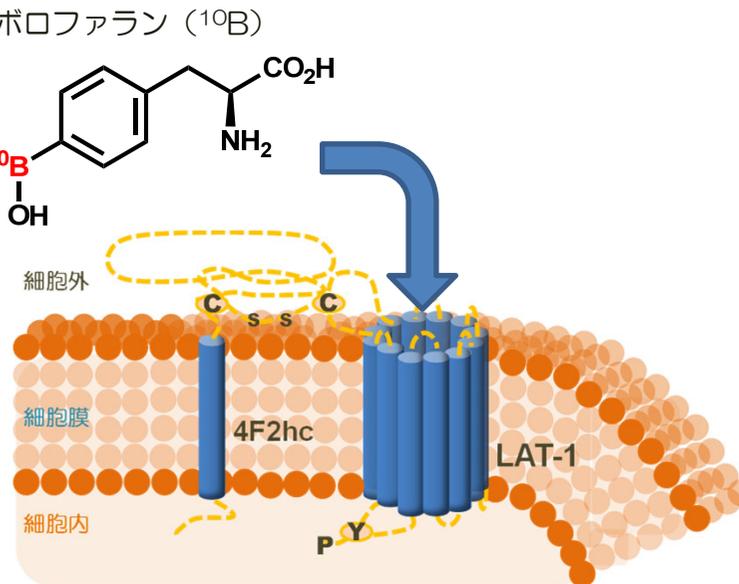
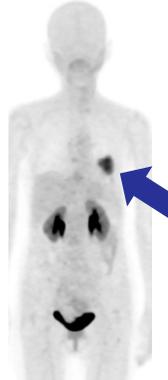


がん患者

腫瘍を発見

脳腫瘍患者

肺がん患者



ボロファン ( $^{10}\text{B}$ ) を用いた BNCTの適応拡大が効率的に進むことが期待できる

ボロファン ( $^{10}\text{B}$ ) の分布状況を可視化し  
治療前にBNCTの効果を予測することが可能

写真：畑澤順先生 (元大阪大学医学部教授) より供与

# BNCTの成長可能性

$^{10}\text{B}$ が集積する疾患に対し  
国内外で臨床試験を拡大

⋮

メラノーマ  
血管肉腫

P1試験  
(2019.11~)

悪性髄膜腫

P2試験  
(2019.8~)

再発脳腫瘍

P2試験  
(2016.2~)

頭頸部癌

薬事承認  
(2020.3)

② 適応疾患の拡大

BNCTが世の中に普及し  
新たながん治療法としての地位を確立

① BNCT治療の普及・展開



...

南東北病院

大阪医科大

国立がん  
研究センター

ヘルシンキ  
病院

海外企業との提携拡大  
病院への加速器導入サポート



STELLA PHARMA



5. 市場規模

# 新たなモダリティの創出による市場規模の拡大

## がん治療関連市場の特徴

### 市場は拡大傾向を続ける

人口の高齢化を主な要因として、がん患者の数は増加し続けている。

高齢化は日本だけでなく世界的な傾向。

これまで高齢化が進行してきた先進地域はもとより、開発途上地域においても、高齢化が急速に進展すると見込まれている

### 新たな治療法を受け入れる素地

がんの治療は、いくつかの治療法を組み合わせた集学的治療が一般的。

がんは未だ克服された病気ではなく、画期的な治療法が登場すると、それを組み込み、治療成績を向上させようとする。

がん治療関連市場は、新たな治療モダリティを受け入れて市場規模を拡大する性質を有している。

### 直近の実例：がん免疫療法薬の登場

肺がん治療薬市場におけるオプジーボの非小細胞肺がんへの適応拡大（2015年12月）のインパクト

2015年まで肺がん治療薬市場は毎年約30億円～150億円伸びていたが、2016年は前年から900億円近く伸び、市場規模は2072億円と2000億円を突破した。

出所：ミクスonline、2017年10月13日公開「抗がん剤市場 16年に1兆円突破 25年に1兆4,000億円台に 免疫療法薬が拡大要因」より抜粋

# 市場規模①（頭頸部癌）

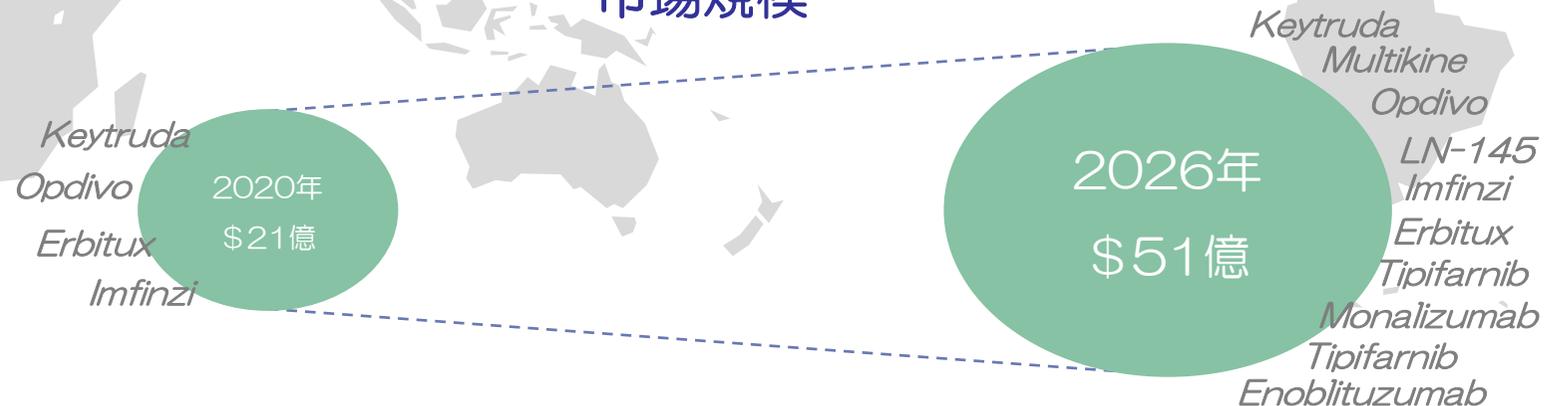
## 患者数

※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。  
この内「切除不能な局所進行または局所再発の頭頸部癌」がBNCT適応となります。



## 市場規模

※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。



出所：国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」（全国がん登録）及び平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)（一般）日本人におけるがんの原因・寄与度：最新推計と将来予測 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」、Evaluate Pharma、台湾衛生福利部国民健康署ホームページ「癌症登記報告」<https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=269&pid=13498>

# 市場規模②（脳腫瘍）

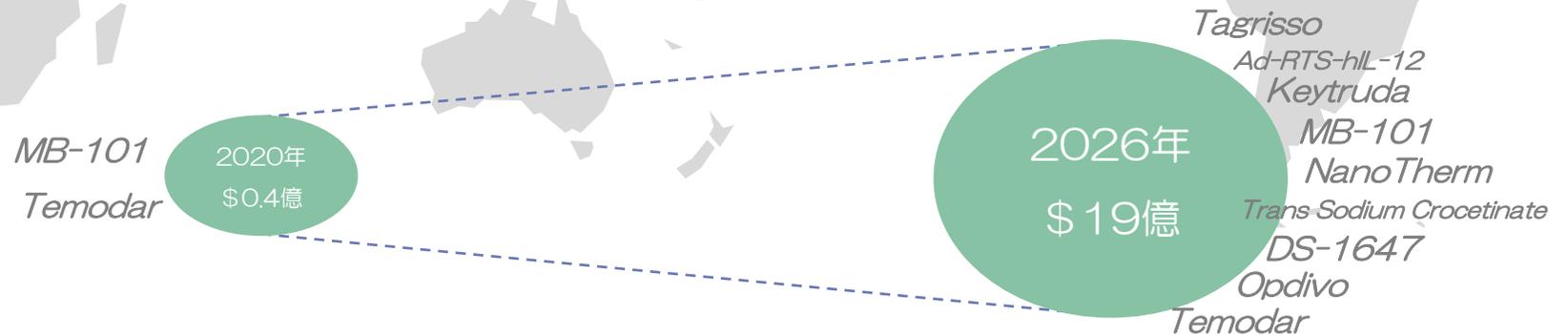
## 患者数

※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。



## 市場規模

※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。

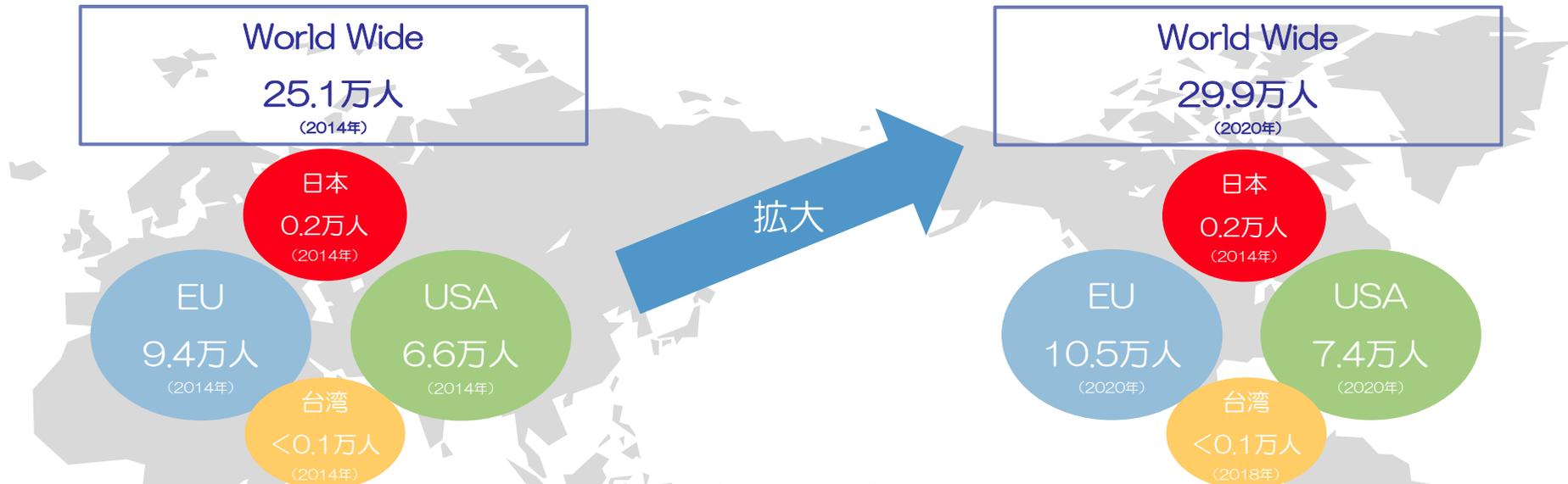


出所：国立がん研究センター希少がんセンターホームページ、Evaluate Pharma、台湾衛生福利部国民健康署ホームページ「癌症登記報告」<https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=269&pid=13498>

# 市場規模③（メラノーマ）

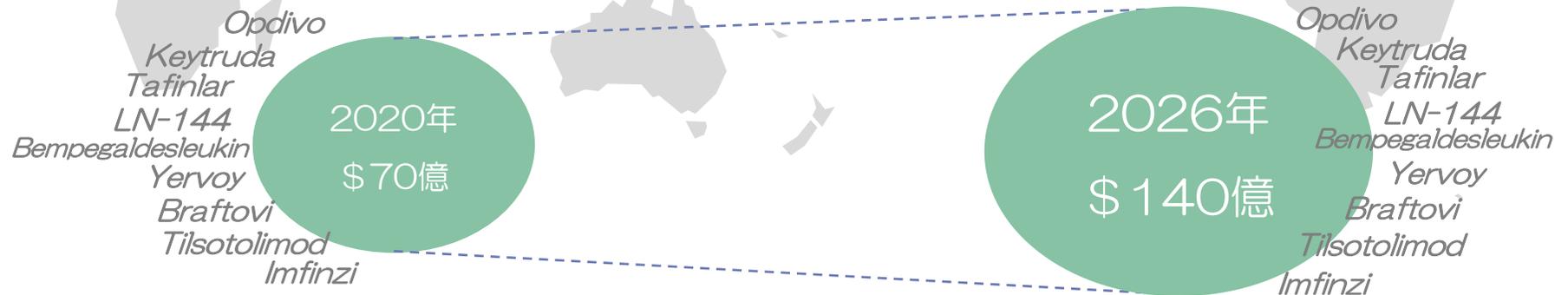
## 患者数

※疾患全体の患者数であり、BNCT適応の患者数を示すものではありません。



## 市場規模

※各疾患への適応が認められる医薬品の販売予測金額を合算して算出しています。



出所：Evaluate Pharma、日本の患者数は公益社団法人 日本皮膚学会より人口10万人あたり1.5~2人に対し、日本の人口をかけて算出  
台湾衛生福利部国民健康署ホームページ「癌症登記報告」<https://www.hpa.gov.tw/Pages/Detail.aspx?nodeid=269&pid=13498>



## 6. 業績推移・リスク情報

# 業績推移



(※) 決算期変更のため、2018年3月期は15ヶ月の数値となっております。

# 当社の業績指標について

## ステボロニン®販売実績と消費換算数量（累計）



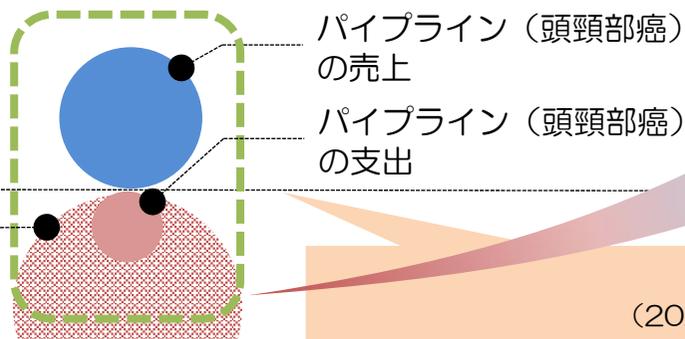
消費換算数量は医療施設で実施された症例数に、当社が独自で算定しております平均消費袋数を乗じて得た値を箱数に換算して推計し、その累計値をグラフとして表示しております。

2020年5月の上市の初年度から順調に販売数量（消費量）が推移

# 開発投資について

## 現在の姿

日本国内の頭頸部癌に対するステボロニンの販売単体では利益を確保



企業価値向上のため適応拡大や海外進出に関する投資を積極的に行う  
結果として数年は損失を計上する見込み

## 目指す姿

主な開発目標  
(2022年3月期)

ステボロニン®の適応拡大		
上場資金	◆再発脳腫瘍	承認申請に向けた取り組み
	◆メラノーマ/血管肉腫	第Ⅰ相試験の実施継続
	◆初発脳腫瘍	N/A（中長期目標）

BNCTの海外展開		
上場資金	◆アジア展開	海外拠点での製剤製造に着手
	◆欧州展開	

新規シーズ探索	
治験開始のための当局(PMDA)相談開始	◆FBPA-PET
最適な製剤処方決定	◆PVA-BPA

※AMED採択による研究開発資金を充当

# リスク情報

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	当社の対応策
研究開発の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>◆ 医薬品の研究開発には、長期に亘り、大きな先行投資が必要</li> <li>◆ 他の産業と相対的に比較して、研究開発の成功確率が低い</li> </ul>	開発が遅延し又は中止となる場合があります。当社の財政状態及び経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	BNCTは、原子炉中性子を利用した臨床研究実績が豊富であり、そのデータを活用することで開発成功確度の高い適応疾患を選定します。
BNCT事業の特異性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>◆ BNCTは、医薬品(ホウ素薬剤)と医療機器(加速器)を併用するため、医療機器の事業展開の影響を受ける可能性</li> </ul>	医療機関への機器の設置が進まない場合や、医療機関に設置された加速器に不具合が生じた場合等においては、医療機関でのBNCTによる治療が制限され、当社の財政状態及び経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。	契約締結等により、医療機器メーカーとの連携体制を強化し、医療機関への営業活動を共同で行うなど、BNCTの発展に向け協業していきます。
資金繰りについて	<ul style="list-style-type: none"> <li>◆ 開発投資に必要な資金確保が行えなかった場合、開発中止など事業計画に影響を与える可能性</li> </ul>	必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に重大な懸念が生じる可能性があります。	営業キャッシュ・フローの早期黒字化に加え、金融機関との取引実績を積み重ねること等により、安定した資金調達を行えるようにします。

上記を含めたリスク情報の詳細は、有価証券届出書の「第二部 企業情報 第2 事業の状況 2 事業等のリスク」をご参照ください。



Appendix

# 本資料の取り扱いについて

- 本資料には、当社に関する見通し、将来に関する計画、経営目標などが記載されています。これらの将来の見通しに関する記述は、将来の事象や動向に関する当該記述を作成した時点における仮定に基づくものであり、当該仮定が必ずしも正確であるという補償はありません。さらに、こうした記述は、将来の結果を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包するものです。実際の結果は環境の変化などにより、将来の見通しと大きく異なる可能性があることにご留意ください。
- 上記の実際の結果に影響を与える要因としては、国内外の経済情勢や当社の関連する業界動向等が含まれますが、これらに限られるものではありません。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、かかる情報の正確性、適切性等について当社は何らの検証も行っておらず、またこれを保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。

P.5	先駆け審査指定制度	<p>一定の要件を満たす新薬等について、厚生労働省が、開発の比較的早期の段階から薬事承認に係る相談・審査等において優先的な取扱いを行う制度。具体的には、「①治療薬の画期性、②対象疾患の重篤性、③対象疾患にかかる極めて高い有効性、④世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思」の4つの要件を満たす画期的な新薬等を開発段階で対象品目に指定し、新たに整備された相談の枠組みを優先的に適用し、かつ優先審査を適用することにより、審査期間を6ヶ月（通常は12ヶ月）まで短縮することを目指すものとされる。</p> <p>当社は、再発悪性神経膠腫と切除不能な局所再発頭頸部癌並びに局所進行頭頸部癌（非扁平上皮癌）について、対象品目の指定を受け、2020年3月には切除不能な局所再発頭頸部癌及び局所進行頭頸部癌を対象として、製造販売承認を取得しました。</p>
P.29	CE mark	<p>商品がすべてのEU（欧州連合）加盟国の基準を満たすものに付けられる基準適合マーク。定められた安全性基準を満たすことで製品上にCEマークを表示することができ、流通が可能となる。※医療機器としての承認は別途必要</p>
P.32	フェニルアラニン	<p>アミノ酸の一種で、側鎖にベンジル基を持つ。略号は Phe または F。アラニンの側鎖の水素原子が1つフェニル基で置き換えられた構造を持つことが名称の由来である。室温では白色の粉末性固体。</p>
P.32	チロシン	<p>細胞でのタンパク質合成に使われる22のアミノ酸のうちの一つ。略号は Tyr または Y。コドンはUACとUAU。極性基を有するが必須アミノ酸ではない。tyrosineはギリシア語でチーズを意味するtyrilに由来し、1846年にドイツ人化学者のユストゥス・フォン・リービッヒがチーズのカゼインから発見した。官能基または側鎖のときはチロシル基と呼ばれる。</p>
P.32	LAT-1	<p>L-type amino acid transporter-1（L型アミノ酸トランスポーター1）の略称。細胞の増殖等に必要アミノ酸の輸送に関わるタンパク質をアミノ酸トランスポーターと呼ばれる。アミノ酸トランスポーターは正常細胞にも存在しますが、LAT-1は多くのがん細胞に選択的かつ高発現するアミノ酸トランスポーターであり、フェニルアラニンやチロシンを輸送する。</p>