

Eat Well, Live Well.



味の素株式会社

# Forge Biologics社 オンライン サイト説明会

執行理事 バイオフィーマサービス部長

大竹 康之

Forge Biologics社 President & CEO

John Maslowski, M.S.

Forge Biologics社 CTO

David Dismuke, Ph.D.

2024年10月2日(日本時間)  
2024年10月1日(米国東部時間)



## 遺伝子治療CDMO 製造設備

20 GMPスイーツ

1L – 5,000L バッチサイズ

>20万 L の総製造能力と拡張性

>260 ロットの製造実績

年率 +100% 以上の顧客数増加

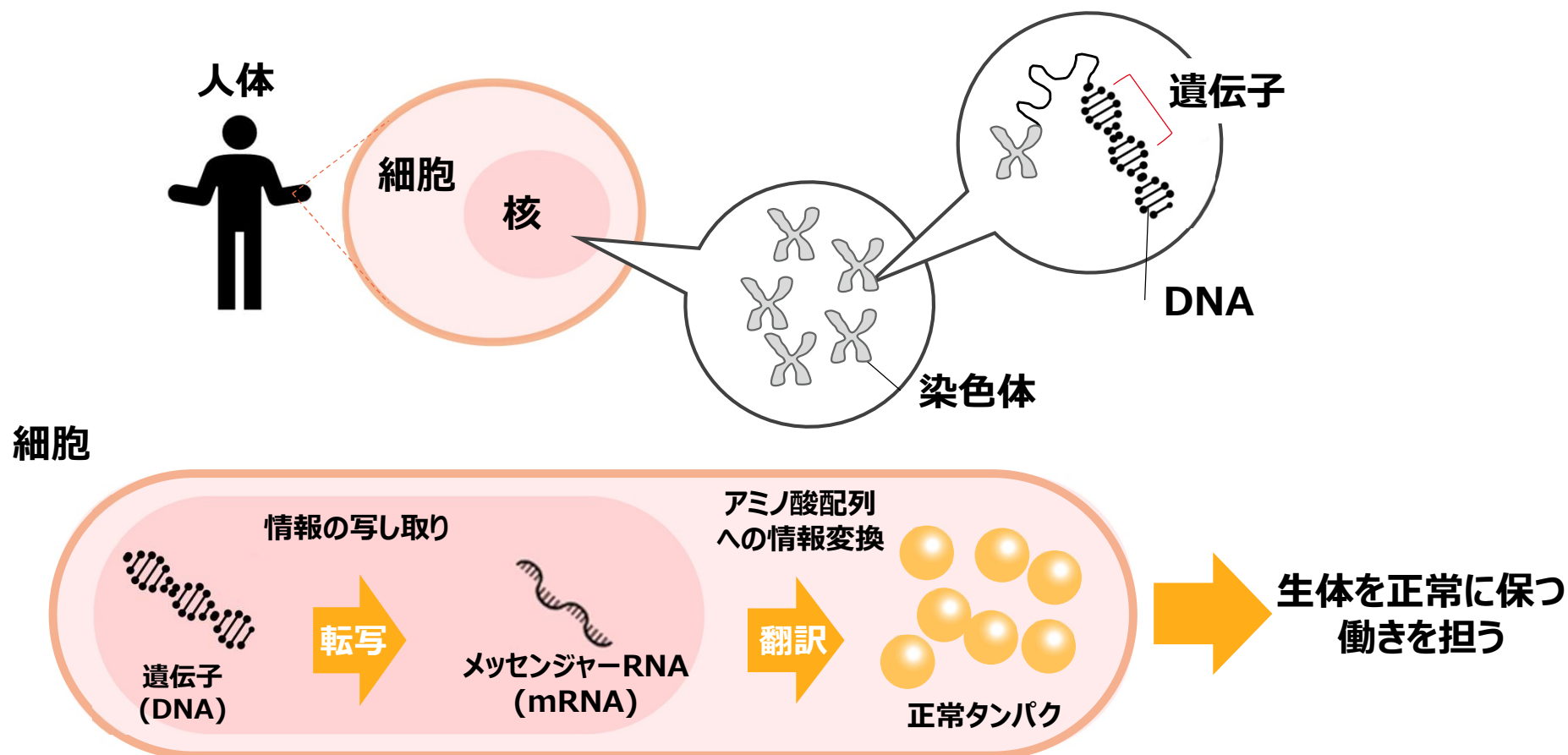
従業員数 約350名



2020年  
創業

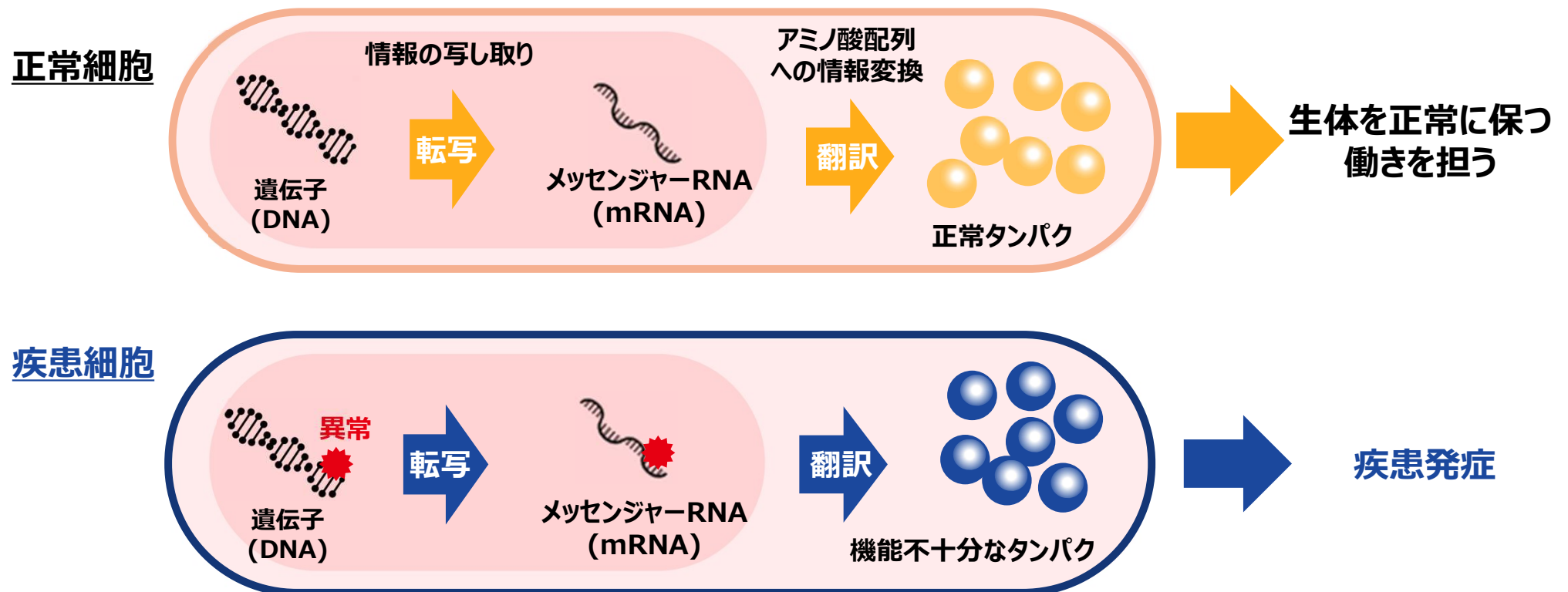
# 遺伝子治療とは：体内のしくみ

- ・「遺伝子」はDNAによりコードされた情報であり、体の細胞がタンパクを作るための設計図の役割を持つ
- ・遺伝子情報は「メッセンジャーRNA」に写し取られ（転写）、その情報をもとにタンパクが作り出され（翻訳）、作り出されたタンパクは、体を作る主成分になったり、生命維持に必要な酵素などになる



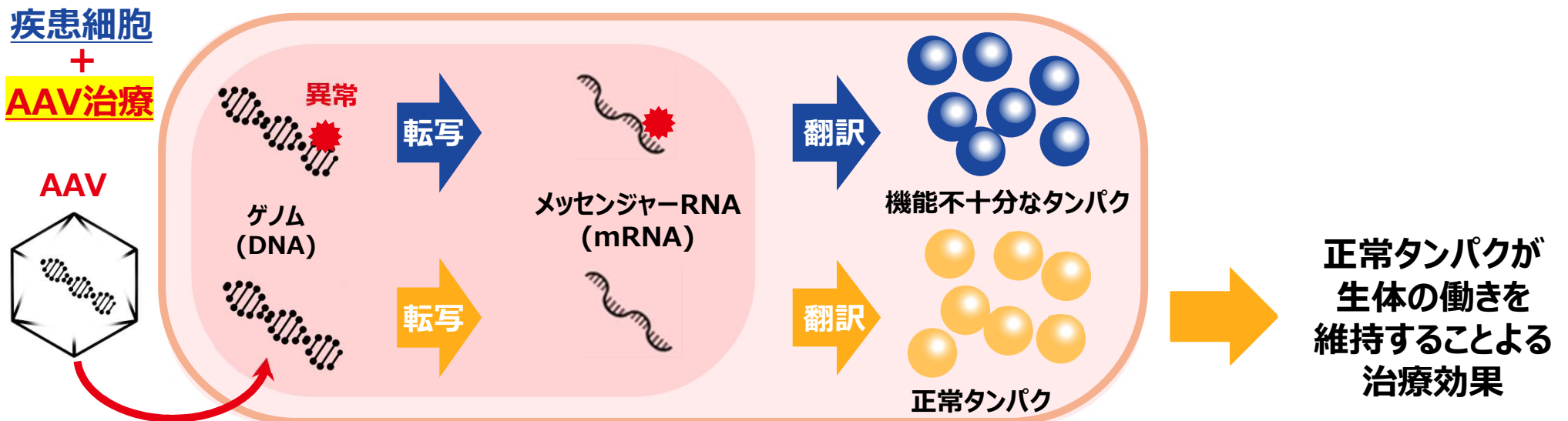
# 遺伝子治療とは：遺伝子疾患の原因

- ・ 遺伝子疾患は、遺伝子の異常により必要な機能を持ったタンパクを作ることが出来ないことによって引き起こされる
- ・ 遺伝子治療とは、細胞内の遺伝子を修復・追加することで、病気の原因となる遺伝子異常を治療する医療技術



# 遺伝子治療とは：AAV治療の原理について

- ・ 必要なタンパクをつくるよう設計・製造された遺伝子を体内の標的細胞に導入する際の運び屋（ウイルスベクター）として「アデノ随伴ウイルスベクター（AAV）」が多く使用される
- ・ 導入された治療用の遺伝子は、細胞内にとどまり、持続的に正常なタンパクを作り出すことができるため、1回の治療によって長期的な治療効果が得られる
- ・ 遺伝子を改変するのではなく、必要な遺伝子を補完する



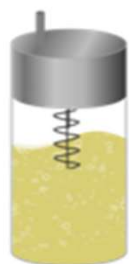
**AAVを用いて外部から正常遺伝子を補充**

\*説明のため2本鎖のイラストになっているが、実際のAAVは1本鎖である。

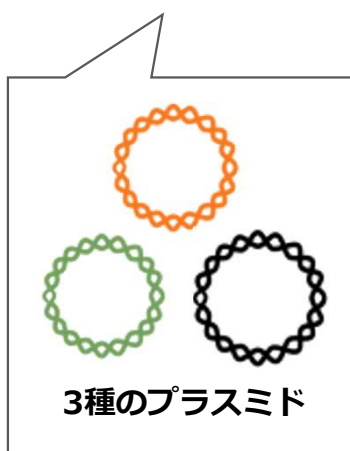
Video-1

# AAVの製造プロセス：全体のプロセス概要

## 1. プラスミド製造工程



AAV製造に必要な「プラスミド」を製造する

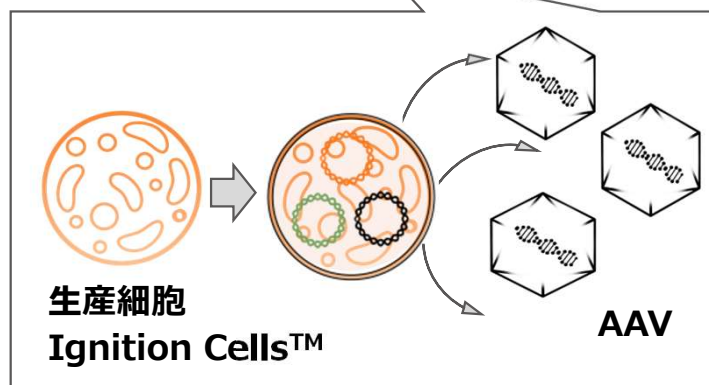


## 2. AAV製造工程（生産・精製）

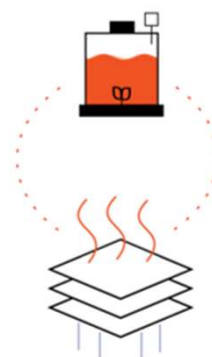
上流工程（生産）



生産細胞を培養し、プラスミドを導入して、AAVを生産する

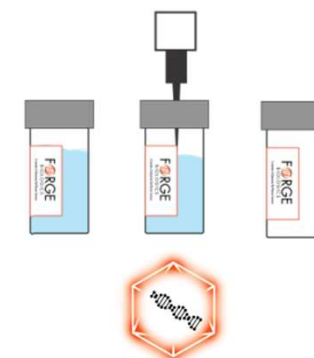


下流工程（精製）



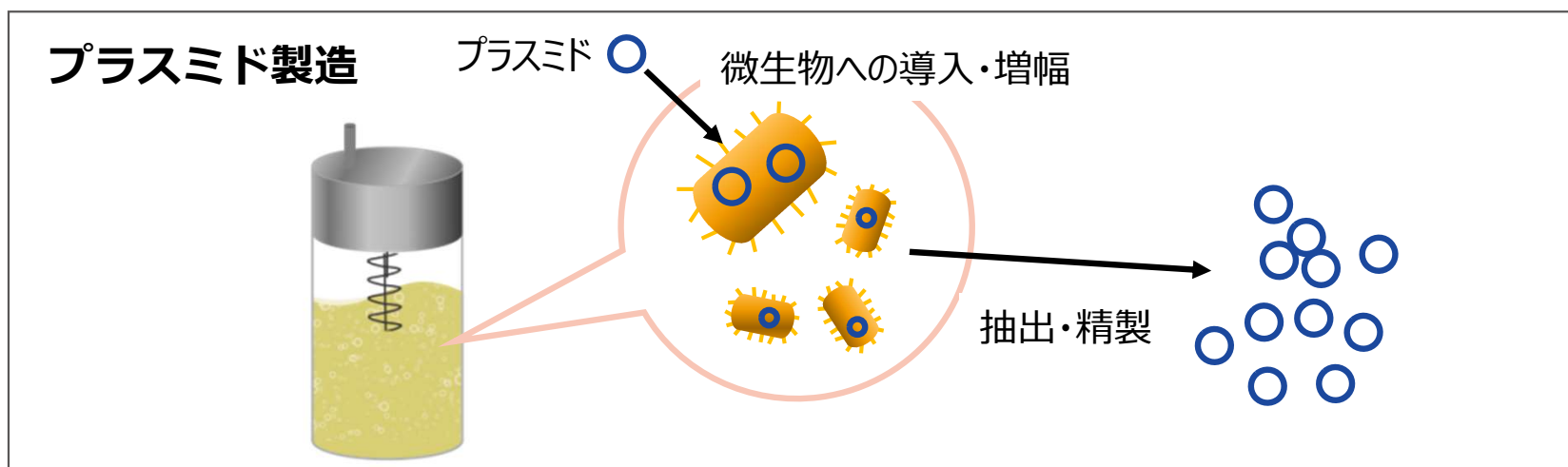
培養液からAAVを精製する

## 3. 充填工程



充填し、最終製剤とする

# AAV製造方法について：プラスミド製造工程



## ・ 3種類のプラスミドを調製する



**(1) GOI (Gene of Interest) プラスミド**  
治療効果のための目的遺伝子を含む



**(2) Rep/Capプラスミド**  
ウイルス複製に必要なタンパク質、カプシド構造などをコードする遺伝子を含む



**(3) pEMBR™**  
ウイルス複製に必要な「ヘルパー」機能を持った遺伝子を含む  
Forge独自ヘルパープラスミドで、高い生産性をサポート

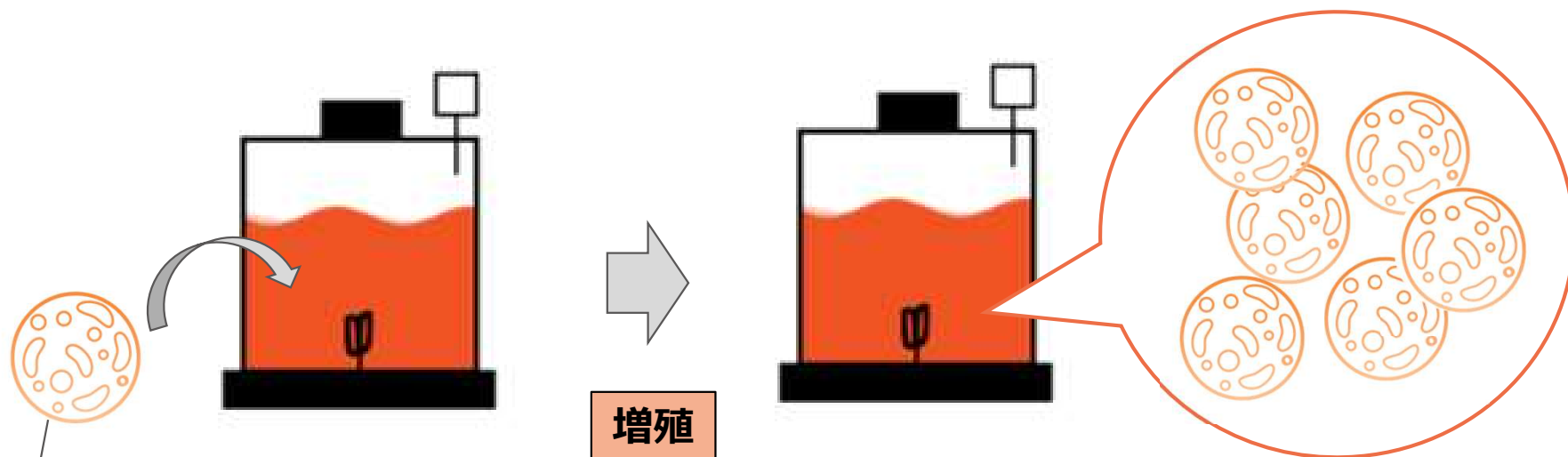
**Forge社の  
独自技術**



# AAV製造方法について：AAV製造工程

- ・ AAV製造に用いる哺乳類細胞を増殖させる

上流工程（生産）



## Ignition Cells™

- ・ Forgeが開発した哺乳類細胞HEK293
- ・ 高い安定性
- ・ 多数の使用実績

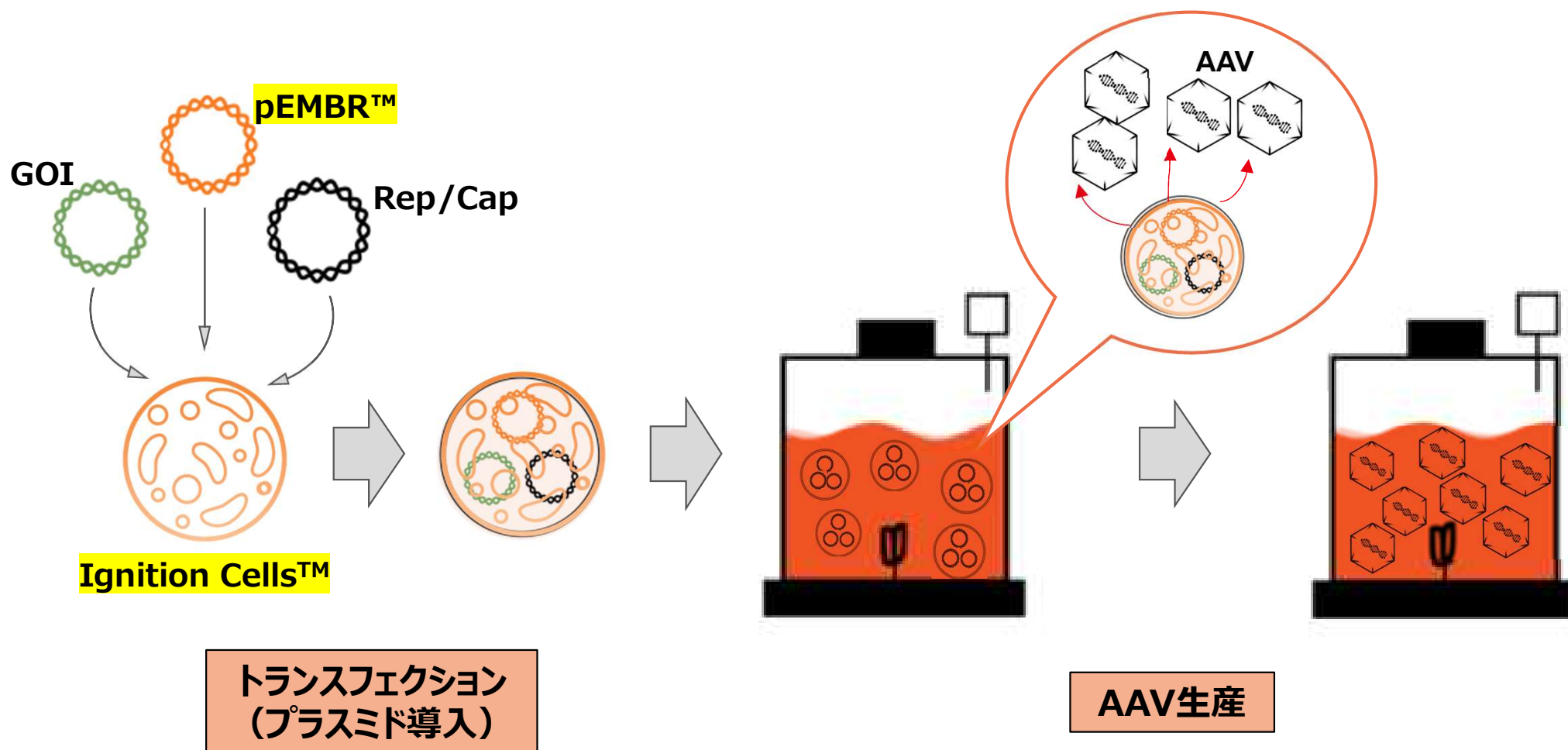
Forge社の  
独自技術

= 高い安定性と生産性を実現

# AAV製造方法について：AAV製造工程

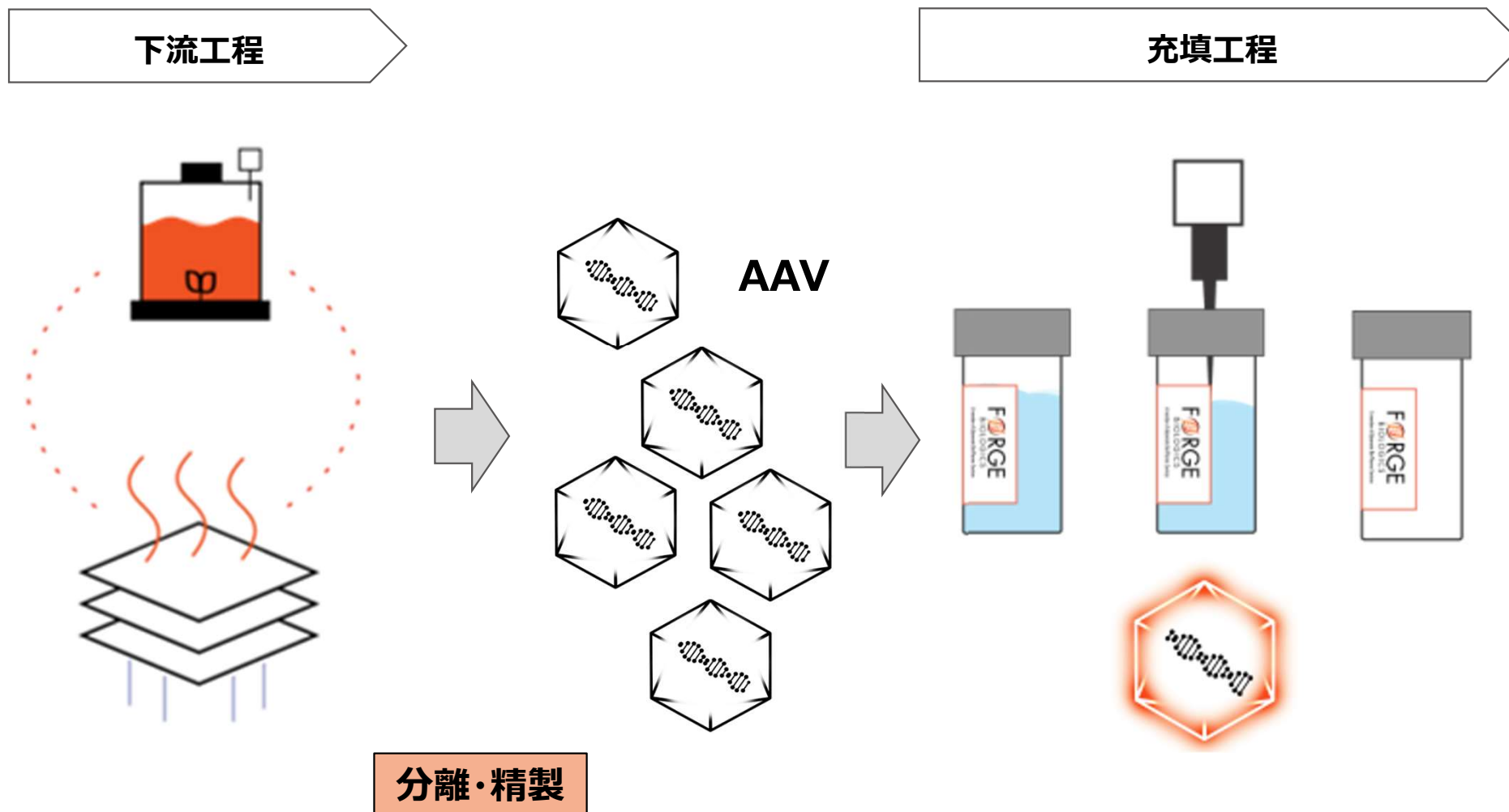
- 調整した3種のプラスミドを導入、AAVを生産する

上流工程（生産）



# AAV製造方法について：AAV製造工程～充填

- AAVを精製し、充填する

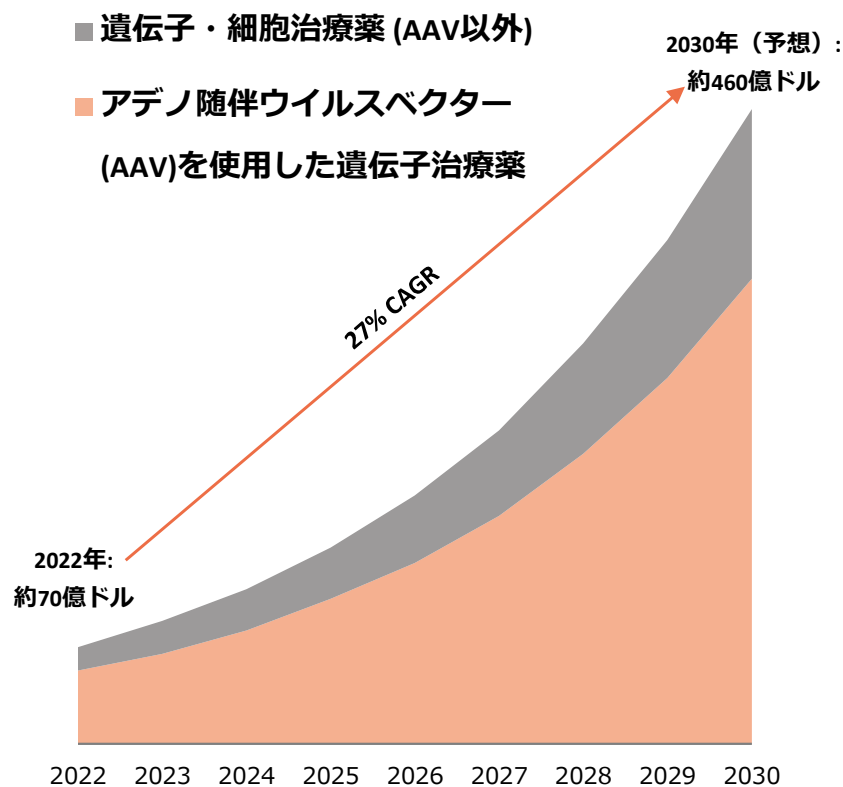


Video-2

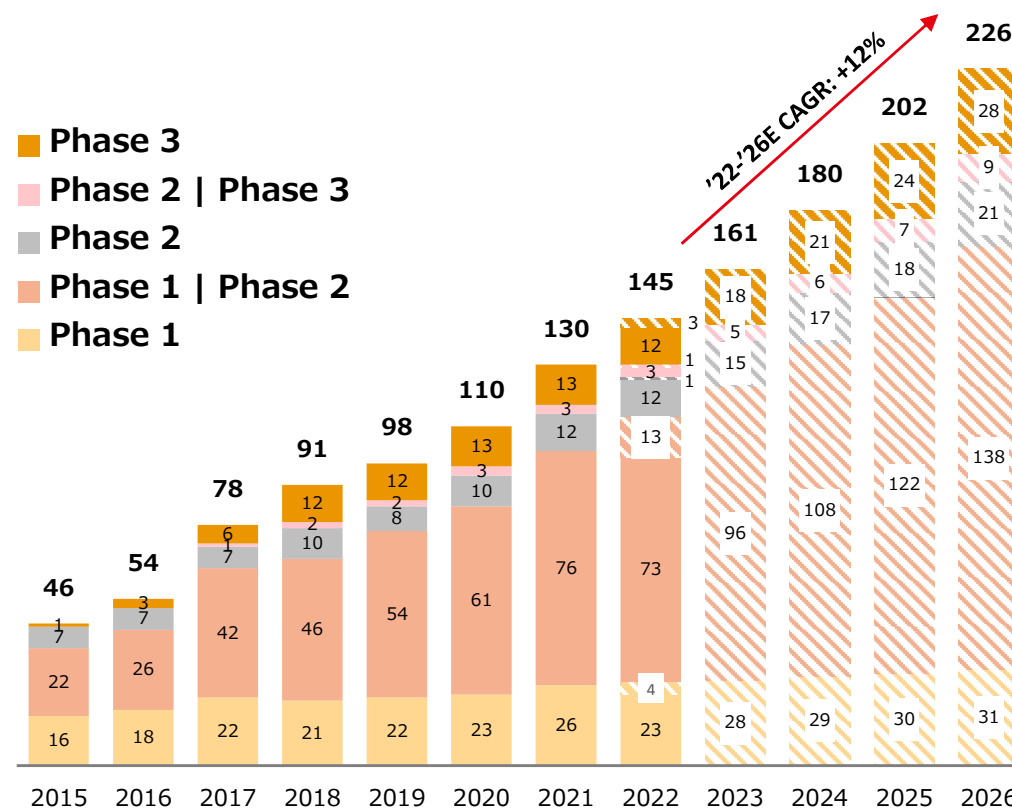
# 急成長する遺伝子治療薬市場

遺伝子治療領域の製薬ニーズは、市場規模・臨床試験数の増加に伴い、今後年間二桁%以上の急成長が見込まれる

遺伝子・細胞治療薬TAM<sup>1)</sup>



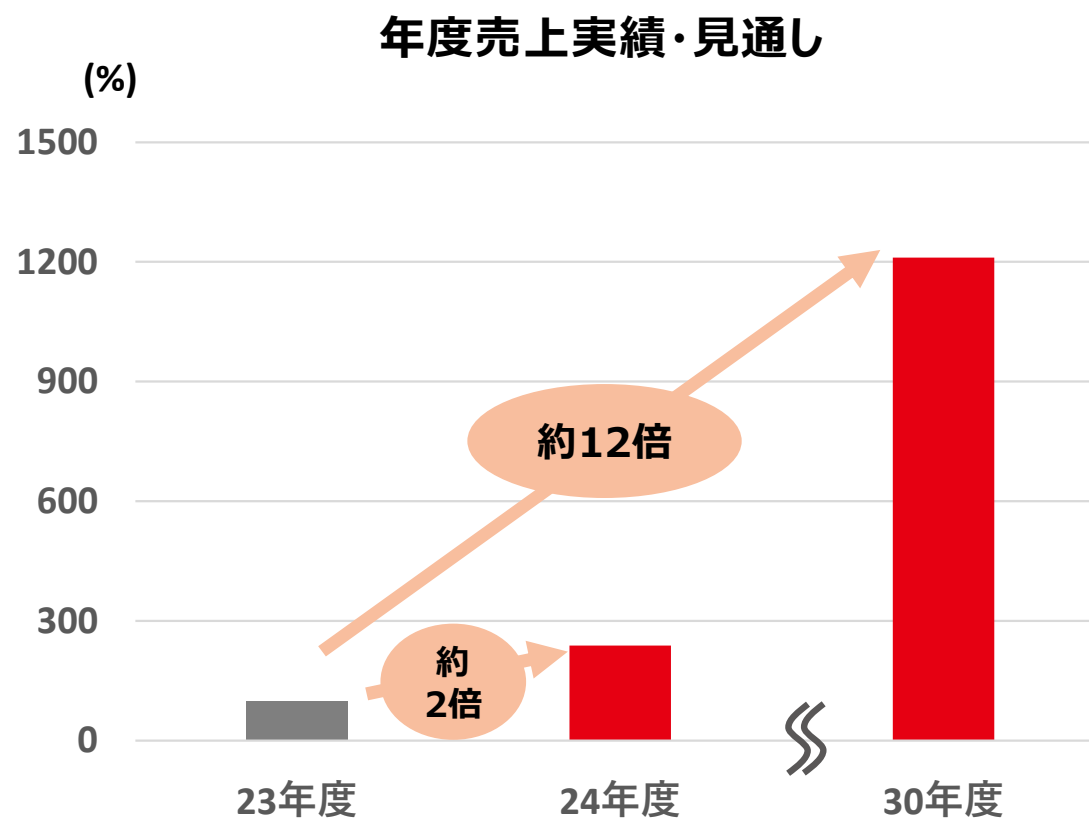
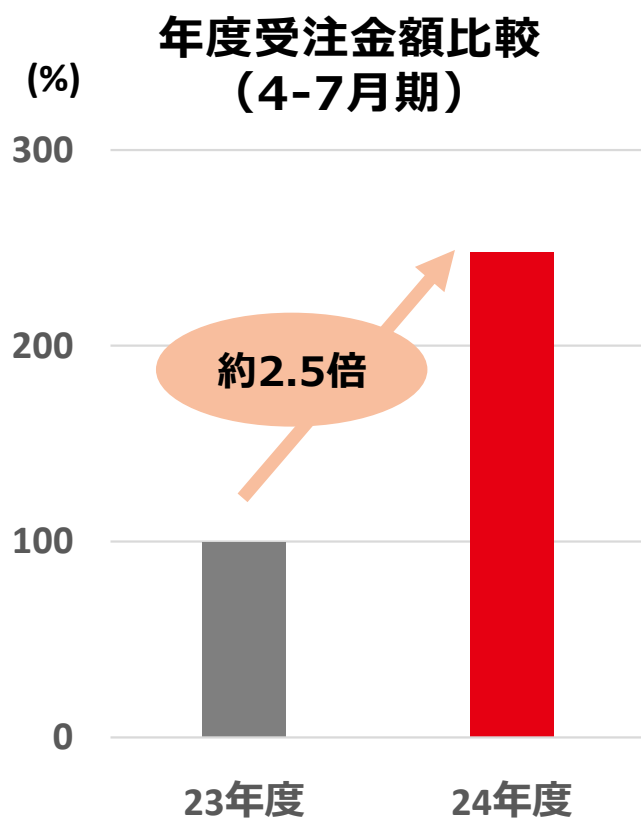
AAV遺伝子治療薬の臨床試験数



出所: Wall Street Research, Alliance of Regenerative Medicine, Roots Analysis等  
 1) TAMはTotal Addressable Marketの略であり、獲得可能な最大市場規模を意味する

# Forge社 顧客獲得状況・売上見通し

- ・北米での資金調達環境の改善も受け、24年度(4-7月期)の受注は昨年度同期と比較して約2.5倍で推移
- ・24年度通期売上は、23年度比で2倍超、30年度にかけて約12倍を見込む



# Forge社の高い専門性と多彩な人財

- マネジメント層を含め50名以上のPh.Dを含む経験豊富な遺伝子治療分野のエキスパートが多数在籍し、定着率も高い
- 世界の遺伝子治療分野をリードする北米オハイオの地で、病院や関連企業、行政やアカデミアとの強力なネットワークが進化している



## Decades of Gene Therapy Expertise

Forge is a CDMO for gene therapy developers, by gene therapy developers

						
Yasu Otake <b>CHAIRMAN OF THE BOARD</b>	John Maslowski, M.S. <b>PRESIDENT &amp; CHIEF EXECUTIVE OFFICER</b>	David Dismuke, Ph.D. <b>CHIEF TECHNICAL OFFICER</b>	Christina Perry, MSA, CPA <b>CHIEF FINANCIAL OFFICER</b>	Maria Escolar, M.D. <b>CHIEF MEDICAL OFFICER</b>	Christopher Shilling, M.S. <b>CHIEF REGULATORY OFFICER</b>	Magdalena Tyrpin, MBA <b>CHIEF BUSINESS OFFICER</b>

								
Frank Agbogbo, Ph.D., MBA <b>VP OF PROCESS DEVELOPMENT</b>	Adam Davis, Ph.D. <b>VP OF ANALYTICAL DEVELOPMENT</b>	Taleen Barsoumian <b>VP OF CLIENT DEVELOPMENT</b>	Meghan Leonard <b>VP OF QUALITY MANAGEMENT</b>	Chris McPherson <b>VP OF GMP MANUFACTURING</b>	Juan Ruiz, M.D., Ph.D., MBA <b>SVP, CLINICAL AFFAIRS</b>	Tanner Taneichi <b>VP, CELL &amp; GENE THERAPY INNOVATION</b>	Ashley Craddick <b>SENIOR DIRECTOR OF GMP MANUFACTURING</b>	Agnieszka Gascoyne <b>DIRECTOR OF GMP MANUFACTURING</b>

# アミノサイエンス®とForge社技術の高い親和性

- ・味の素社とForge社の連携でR&Dシナジーチーム立ち上げ



CELL|ST™



StemFit.

CDMO領域における高い技術基盤  
培地開発で培った配合最適化・製造ノウハウ

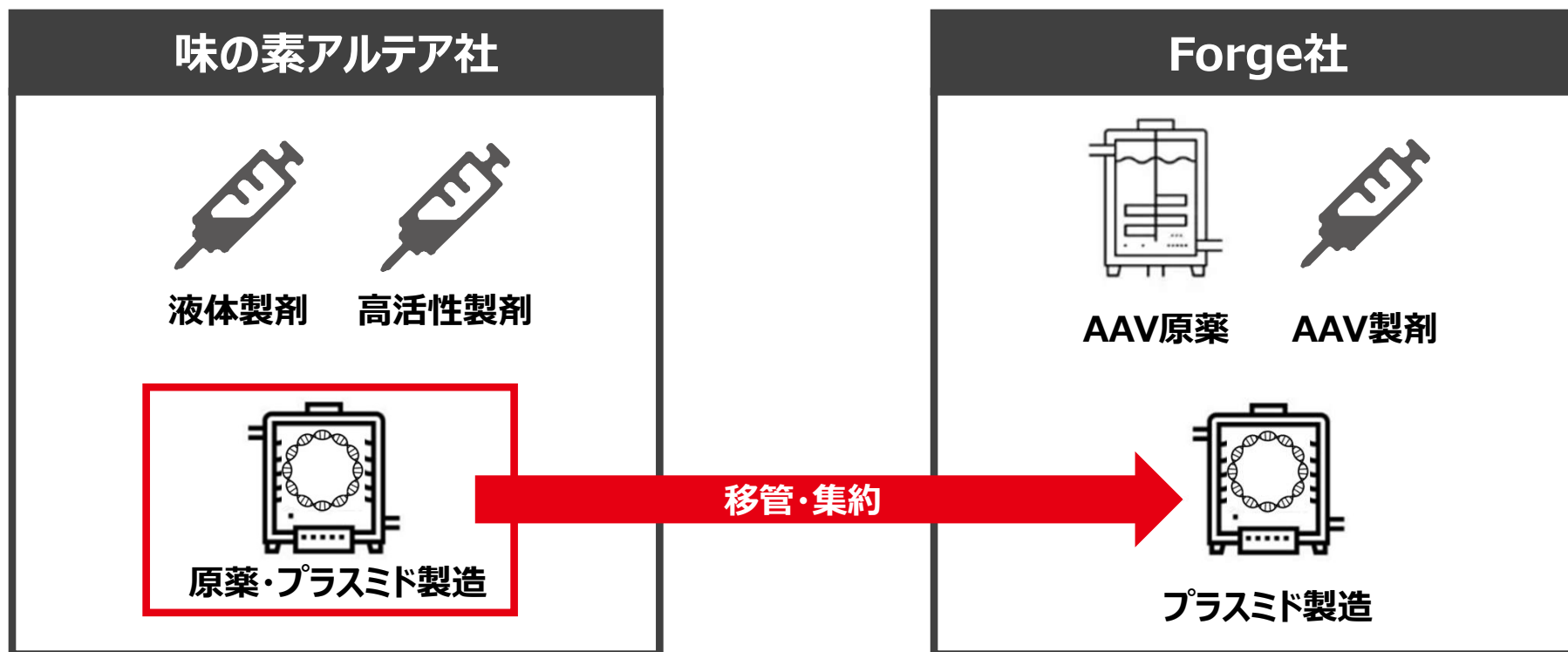


AAVの製造ノウハウ  
独自プラットフォーム技術  
細胞株Ignition™ / pEMBR™

- ・Forge社のプラットフォーム技術に最適化された培地の共同開発
- ・AAV製造に関する共同R&Dの推進



- ・Forge社の買収に伴い、北米バイオファーマ事業におけるサプライチェーンを最適化

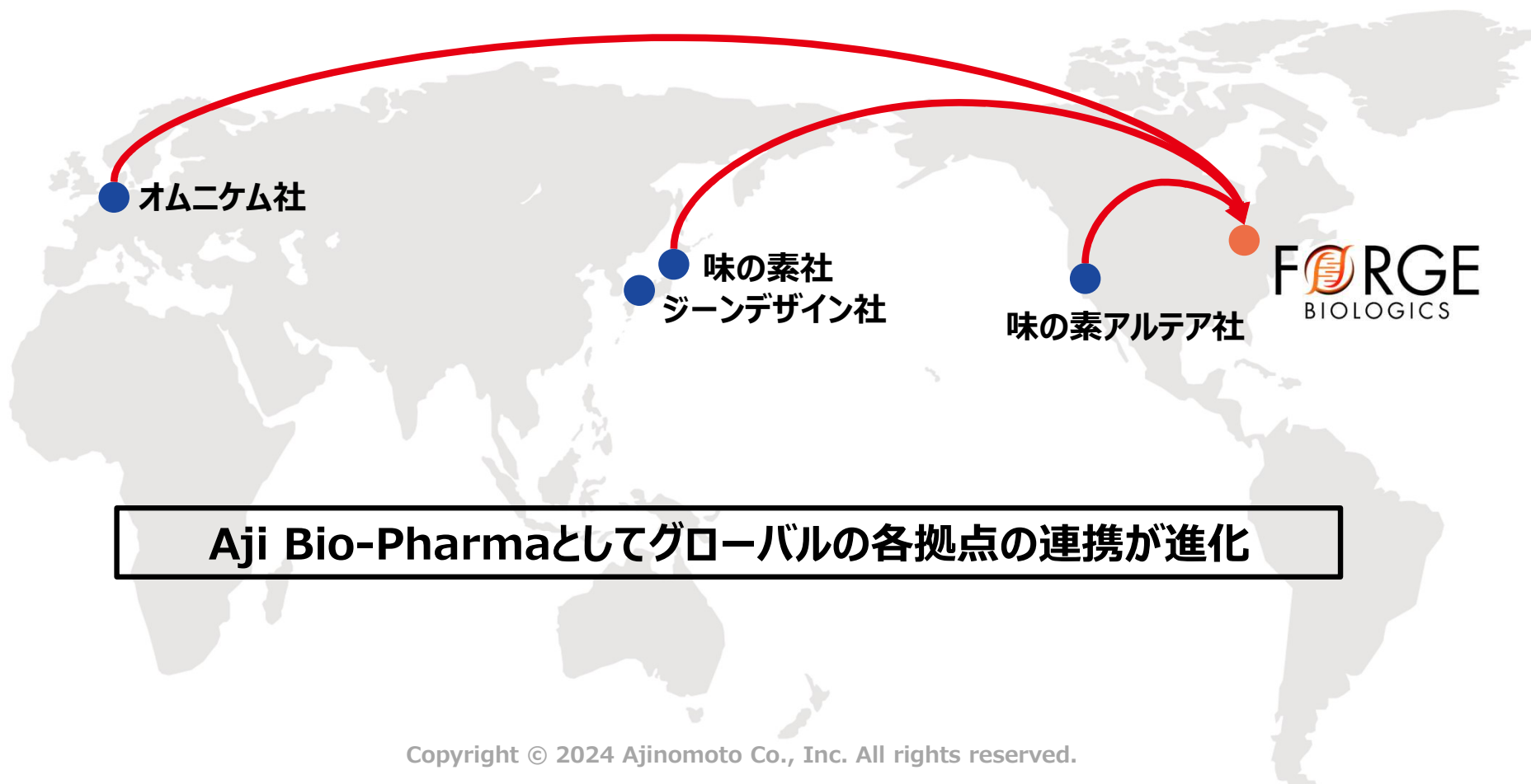


原薬・プラスミド製造をForge社に移管  
液体製剤化事業に注力

味の素アルテア社から人員・ノウハウを移管  
プラスミド製造事業を強化

# バイオフィーマ事業グローバル拠点とのシナジー

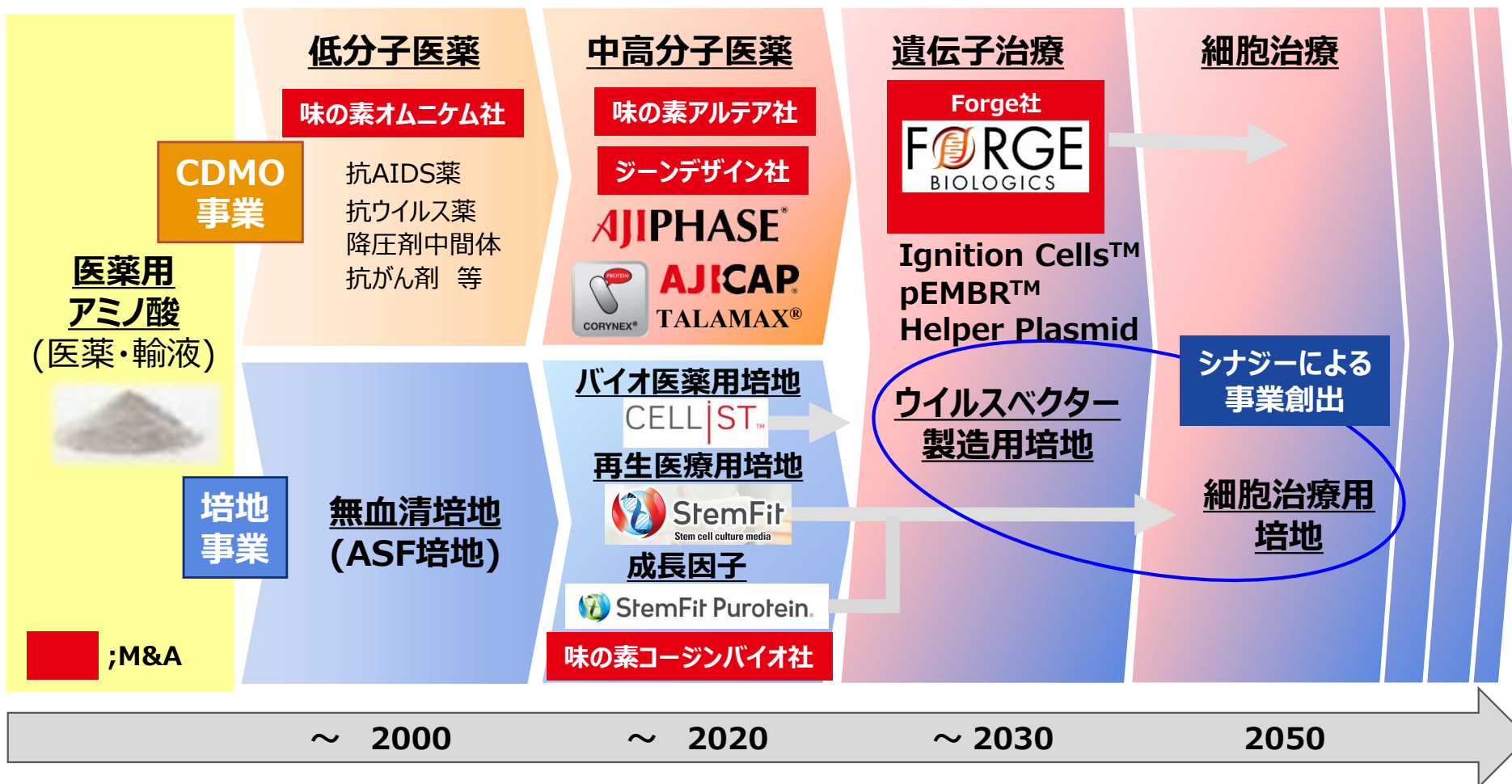
- ・味の素グループの一員となり経営基盤が強化されたことによる信頼性向上
- ・日米欧にまたがる味の素バイオ・ファーマサービスのネットワーク活用による顧客接点の増加
- ・商業製造に向けた味の素アルテア社からの規制対応サポート



**Aji Bio-Pharmaとしてグローバルの各拠点の連携が進化**

# ヘルスケア領域の成長戦略/Forge社の買収と展開

- ・ Forge社の買収により、遺伝子治療CDMOの事業基盤と独自の差別化技術を獲得し、さらにシナジーによる事業強化・創出や、細胞治療分野への展開の足掛かりを得た



# Eat Well, Live Well.



- 本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記載は、本資料の発表日現在における将来の見通し、計画のもととなる前提、予測を含んで記載しており、当社としてその実現を約束する趣旨のものではありません。実際の業績は、今後様々な要因によって、大きく異なる結果となる可能性があります。
- 本資料には監査を受けていない概算値を含むため、数値が変更になる可能性があります。
- 本資料の金額は、切り捨てで表示しております。

用語	意味・内容
転写、翻訳	DNAの中の遺伝子情報がメッセンジャーRNA (mRNA) にコピーされることを「転写」という。そのメッセンジャーRNA (mRNA) にコピーされた情報からアミノ酸配列へ情報変換し、リボソーム (タンパク質が合成される場所) でアミノ酸を結合させ、タンパクを生成することを「翻訳」という。
ウイルスベクター	ベクターとは、遺伝子治療において、治療用の遺伝子を細胞に届けるための運び屋のことで、ウイルスがベースとなっているものを、ウイルスベクターと呼ぶ。
アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクター	ウイルスベクターの一種。アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターは病原性がないため、安全かつ容易に患者の細胞に遺伝子を届けることができるため、多くの病気の治療可能性が示唆されている。
培地	培地とは、細胞が必要とするアミノ酸、糖質、脂質、ビタミン、ミネラルに成長因子などをバランス良く含んだ栄養液のこと。細胞は培地から栄養を摂り、細胞の増殖や物質生産がおこなわれる。
cGMP	米国の「current Good Manufacturing Practice (医薬品の製造管理及び品質管理の基準)」の略称。

用語	意味・内容
GMPスイート	GMPとは、GMPとは“Good Manufacturing Practice”の略で、製品の品質を保証するための基準やルールを指す。GMPスイートとは、遺伝子治療のためのウイルスベクターを作り出すための「特別な部屋」で、そこでは特定のルールや基準が設けられている。これにより、ウイルスベクターが安全で、かつ安定して高品質を保つよう製造される。
プラスミド	細菌や酵母の細胞内にある、小さな環状DNAで、目的の遺伝子を細胞に届け、働くようにするために技術的に改変されたもの。AAVの製造には3種類のプラスミドが必要となる。
pEMBR™ ヘルパープラスミド	Forge社が特許を持つ独自技術。プラスミドサイズを最適化し、製造での安定性を高めるほか、免疫原性を抑えるよう設計されている。Forge社の顧客の多くが使用している。
Rep/Capプラスミド	AAVゲノムに存在するRepとCapという2つの遺伝子を搭載したプラスミド。repはウイルスゲノムの複製や転写を担う非構造タンパクを、capは3種類の構造タンパク（カプシドタンパク質）をコードしている。
Ignition™ Cell	Forge社の独自のウイルスベクター製造用HEK293細胞株。安定したトランスフェクション効率、高いAAV生産効率を示している。各種レギュラトリーにも対応しており、セルバンクも認証取得済。

用語	意味・内容
アップストリーム、 ダウンストリーム	AAVの製造工程は、プラスミド製造、アップストリーム、ダウンストリーム、Fill & Finishに分かれている。プラスミドを製造後、アップストリームの工程では細胞にプラスミドを導入（トランスフェクション）し、AAVを製造。その後ダウンストリームの工程では、不純物を除去し、高純度のAAVを取得するために分離・精製を行う。最後にFill & Finish（無菌充填工程）で完成。