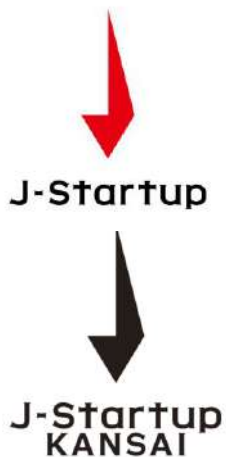


病気と闘う患者さんと支える方々を “照らす光 **LUX**” となる

人工核酸 **XNA** を応用した核酸医薬創出を目指す



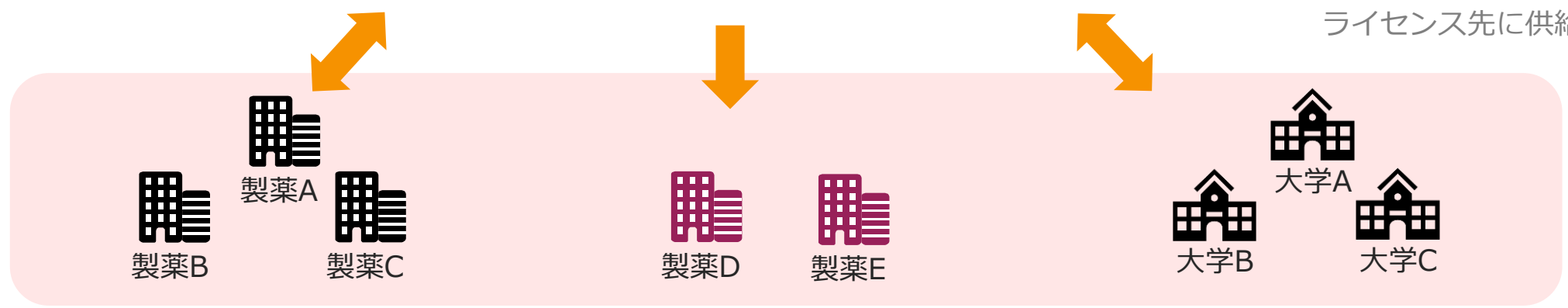
ルクサナバイオテック **Luxna** Biotech



2023.7. 会社概要
代表取締役社長 CEO 佐藤 秀昭



LuxiAP[®]はASO医薬品を
実用化するための
創薬プラットフォーム



1. 製薬会社との共同創薬

製薬会社主導で進める共同開発

成長性を担う

2. XNAs技術ライセンス契約

製薬会社でルクサナXNAsを活用

安定的な収益に貢献

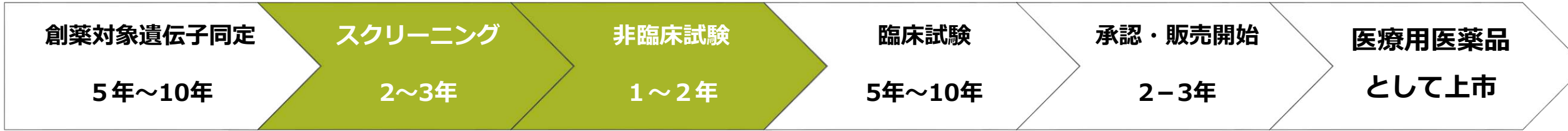
3. 自社創薬

ルクサナ主導で進めるASO医薬品開発

成長性を担う

安定的な収益に貢献

収益モデル 医薬品開発の時間軸と当社の収益モデル



製薬との共同創薬
創薬ターゲット疾患・遺伝子の合意

創薬共同研究契約

アップフロント → 研究協力金 → 達成報奨金

住友ファーマ
製薬A
製薬B
SERVIER
moved by you

創出アンチセンスの導出
非臨床試験から製薬会社
XNAs技術ライセンス

XNAsモノマー供給
開発進捗に応じたマイルストーン受領

売上ロイヤルティ受領
売上ロイヤルティ受領

XNAs技術ライセンス
許諾遺伝子の合意

武田薬品
ALIGOS
THERAPEUTICS

XNAs技術ライセンス
開発進捗に応じたマイルストーン受領

売上ロイヤルティ受領

自社創薬
アカデミア疾患研究から開発ターゲット探索

Luxna-アカデミア共同開発
・ 脊髄損傷治療薬
・ 末梢神経障害性疼痛
・ 小細胞肺癌

自社で初期開発主導

製薬会社に導出

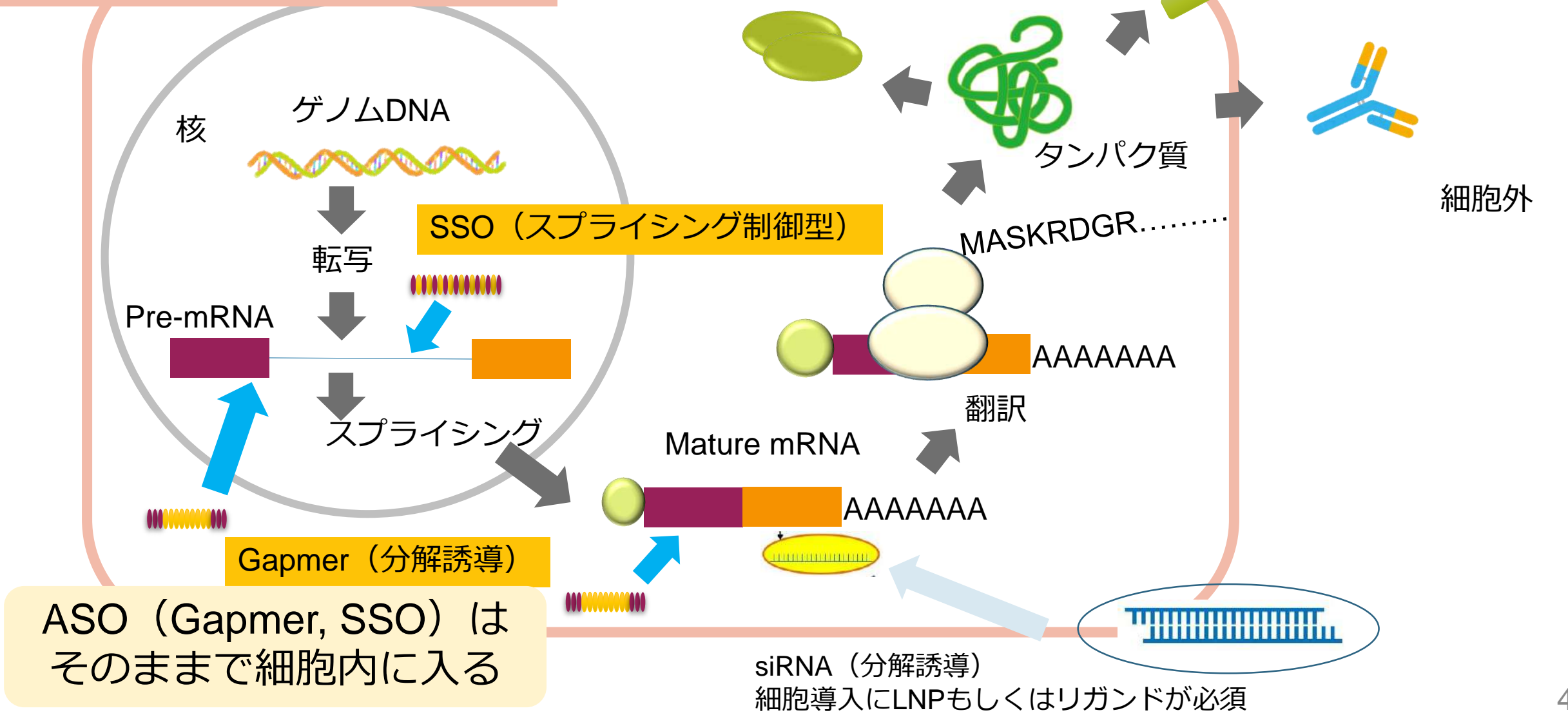
XNAsモノマー供給
開発進捗に応じたマイルストーン受領

売上ロイヤルティ受領
売上ロイヤルティ受領

当社の事業領域

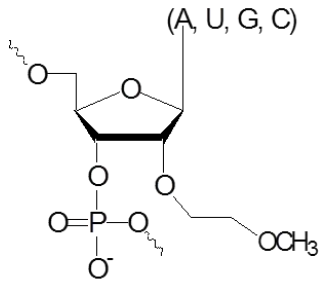
当社技術が最大効果を発揮する 2種類のアンチセンス (ASO: Gapmer, SSO)

細胞内作用点と細胞導入のメリット



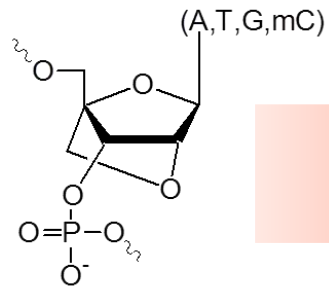
ASOに求められている要素

1st Gen

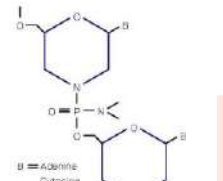


2'-MOE
米Ionis社 (承認薬あり)

2nd Gen



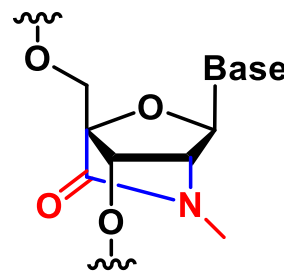
LNA
Roche社など
承認薬なし



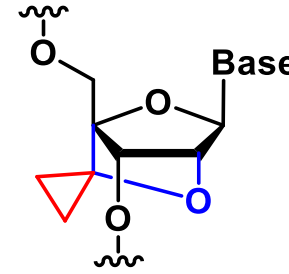
モルフォリノ核酸
日本新薬など (承認薬あり)
大量投与により薬効を獲得

大幅な
改良は
困難

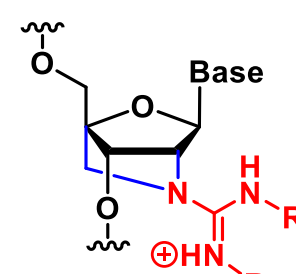
3rd Gen Luxna XNAs*



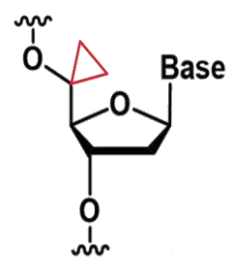
AmNA®



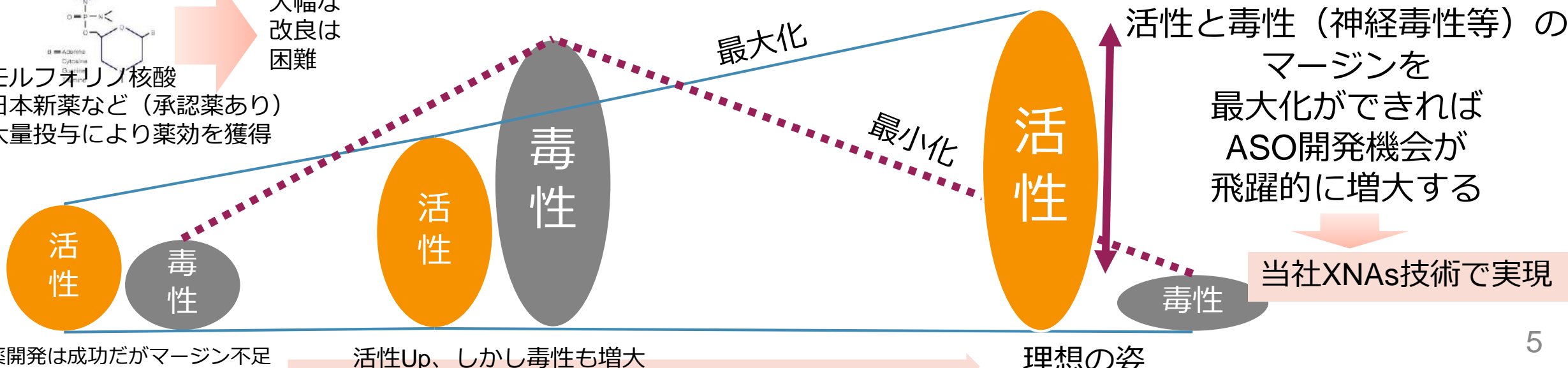
scpBNA®



GuNA®



5'-CP®



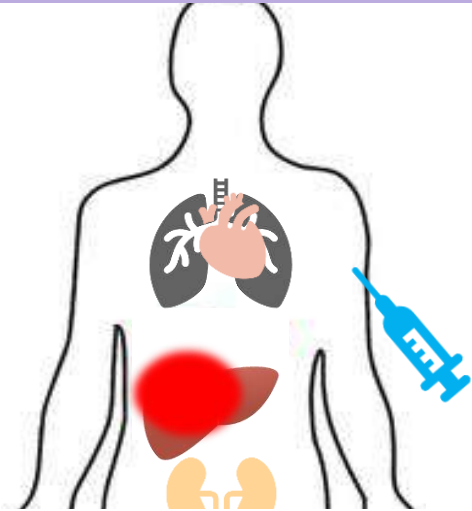
薬開発は成功だがマージン不足

活性Up、しかし毒性も増大

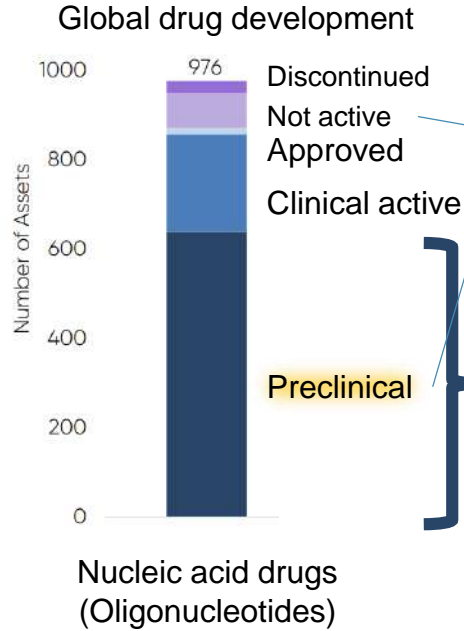
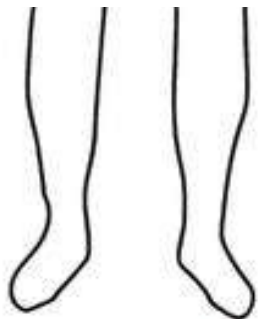
理想の姿

普及の鍵は“**2つの毒性（副作用）**”をコントロールしつつ、活性が向上するASO構造に到達すること

全身投与



**肝毒性の
コントロールが重要**

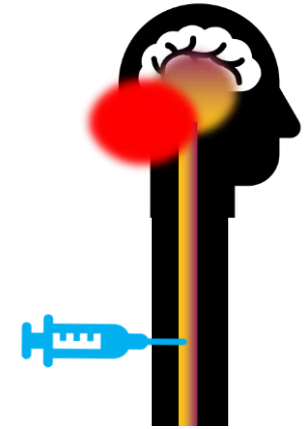


全身性の
遺伝子変異疾患

安全性課題があり進
まなかった標的

中枢系疾患の核酸
医薬の多くがまだ
前臨床段階

髄腔内投与 中枢系への直接投与

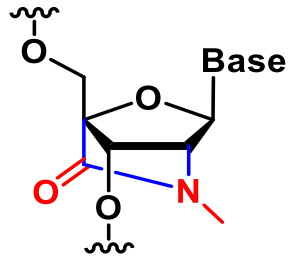


**神経毒性の
コントロールが重要**

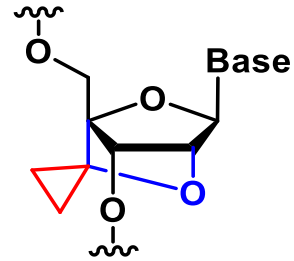
毒性コントロールを実現し、
活性持続する+活性が向上する
ASOが産み出せれば治療応用
性が飛躍的に拡大

架橋型人工核酸

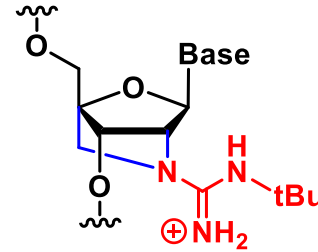
DNA型人工核酸



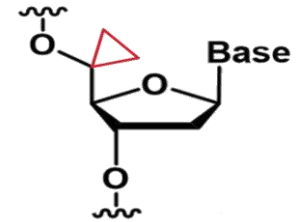
AmNA[®] ●



scpBNA[®] ●



GuNA[®][t-Bu] ●



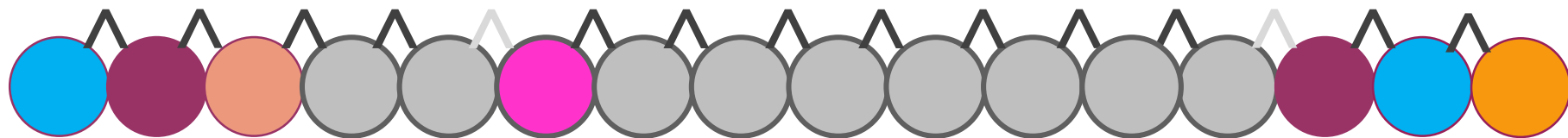
5'-CP[®] ●

- 強力なRNA結合力がもたらす活性向上
- 生体安定性 肝毒性低減

プラスチャージした
ユニークな物性
脳内での活性向上

- 生体内での高い安定性
- 神経毒性／肝毒性の劇的な低減

競合優位な特性・特許優先性を持つ素材をASO創薬に展開



XNAsが導入されたASOの例

会社概要

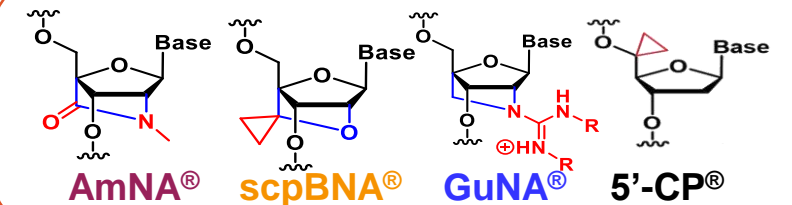
会社名 ルクサナバイオテック株式会社
設立日 2017年12月18日（10月期末）
事業所 大阪府吹田市山田丘2番8号
本社 大阪大学テクノアライアンス棟
研究所 大阪大学テクノアライアンス棟
彩都バイオインキュベータ
資本金 9,000万円
従業員数 21名（2022年12月現在）

Location

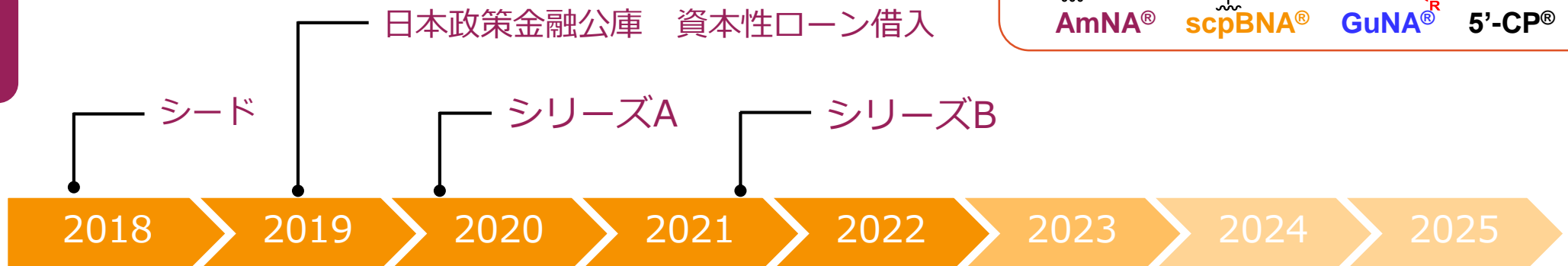


Osaka, Japan

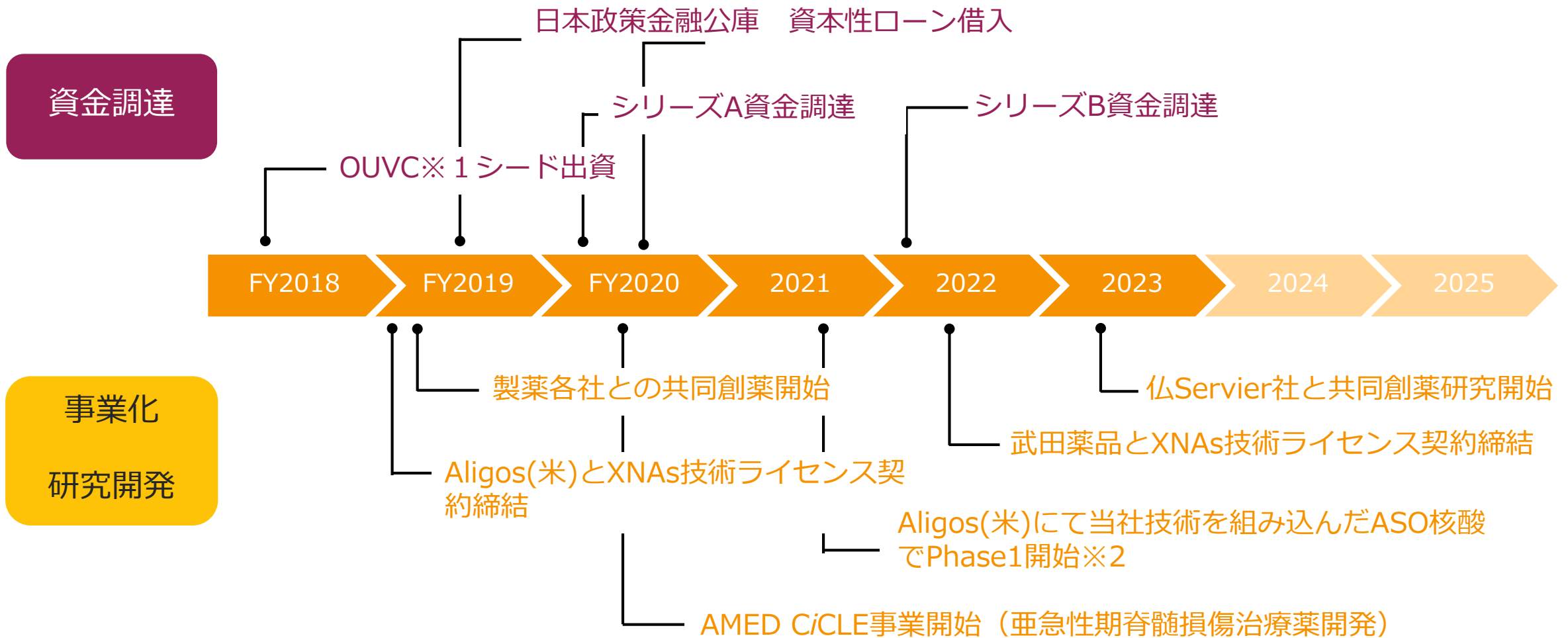
大阪大学で発明された高活性・低毒性人工核酸群



資金調達



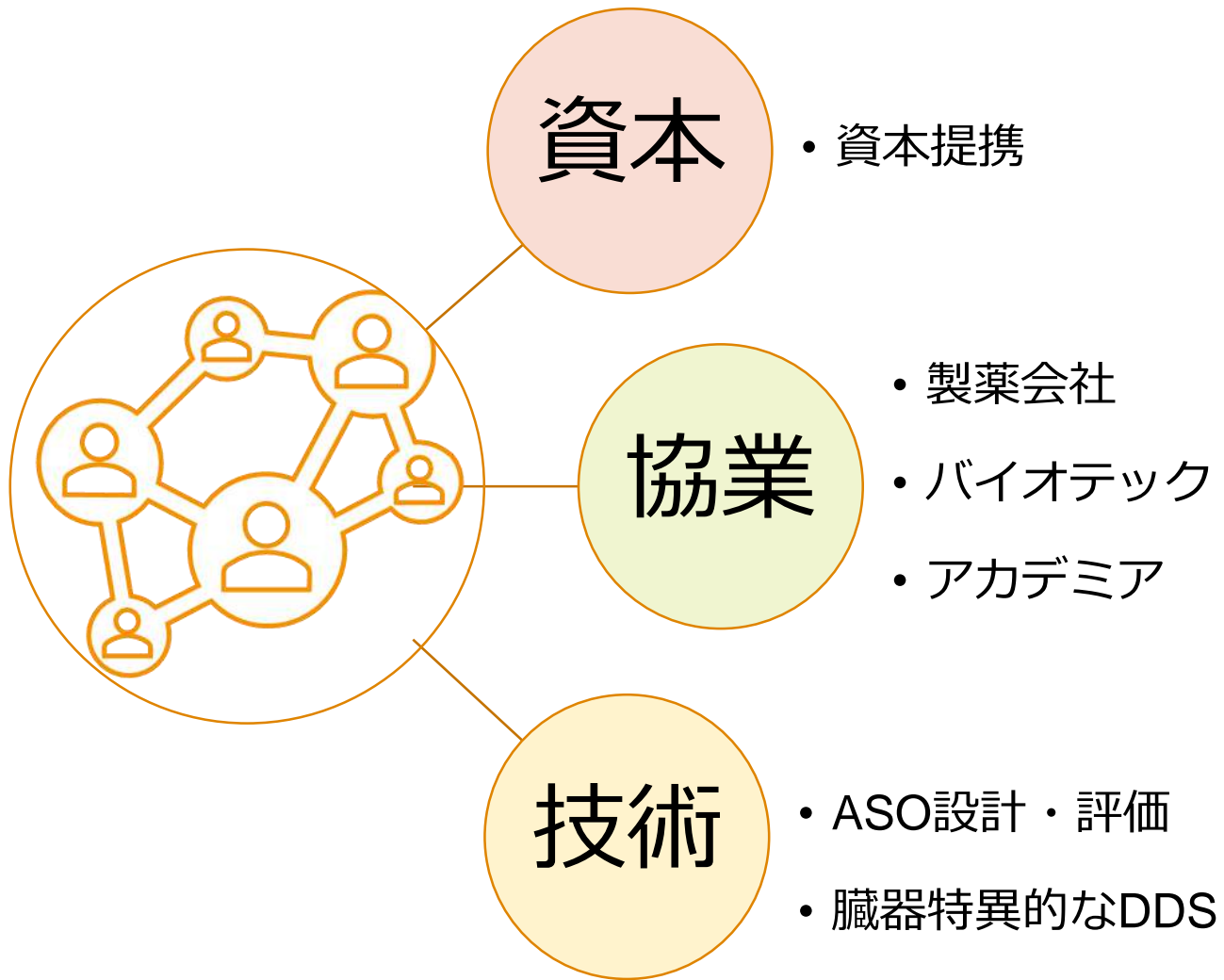
設立からのキーイベント



※1 OUVVC = 大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社

※2 Phase1a試験で高い健常人忍容性が確認されましたが、Phase1bで患者投与における肝毒性のため開発中止となりました。Aligos社との原因解析を経てAligos側で戦略の見直しと追加試験を行っています。

私たちは広くパートナーを求めています



ミドルステージ
出資

神経疾患
領域

発現上昇により
発症する疾患

単一遺伝子
変異疾患

局所投与執権

組織移行性
DDS

AI/MLの
活用

私たちは核酸化学の力でアンチセンス医薬（ASO）新薬を
製薬パートナーと共に創出し、患者さんと患者さんを支える皆さんの
福音となることを目指します



Contact info