

Pioneering EV Therapeutics — Creating the Future of Medicine

**EXORPHIA**

アトピー性皮膚炎治療薬 **(EXP01)** 紹介

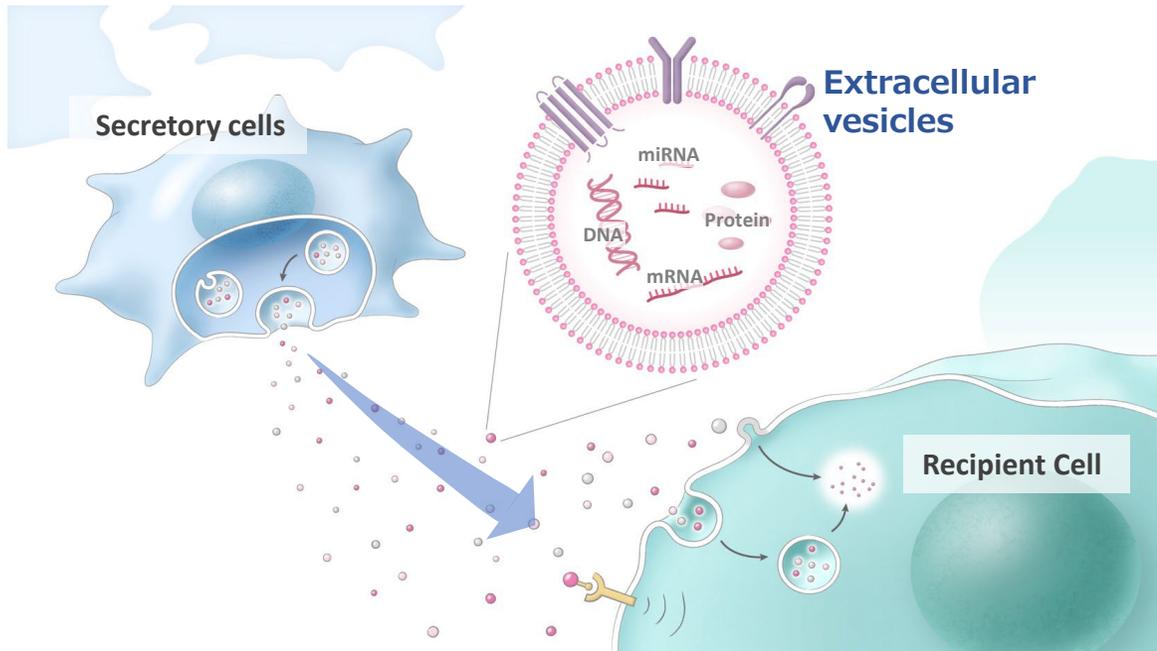
株式会社EXORPHIA

# 1. Company Overview

EV創薬に特化した国内のパイオニア。バイオ医薬品としての品質・安全性を最優先に開発を進めている。

**ミッション**：高度なEV（細胞外小胞）技術で医療の未来を創る。

## EVは細胞由来の成分を全身に送達する天然のキャリア



**設立** 2019年

**所在地** 東京都千代田区大手町

**累計調達額** 18億円

**主要株主**

**従業員数** 20名（R&D中心）

**連携大学**

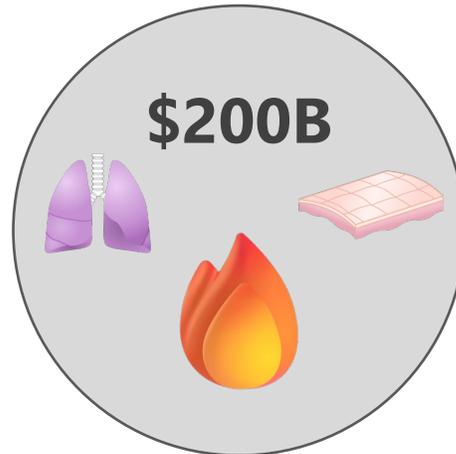
## 2. Market Opportunities

EV技術で「不妊症」、「炎症性疾患」および「ワクチン・次世代DDS」の広範なニーズに応える

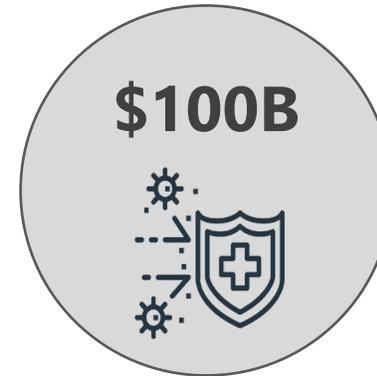
高度生殖補助  
医療(ART)\*1



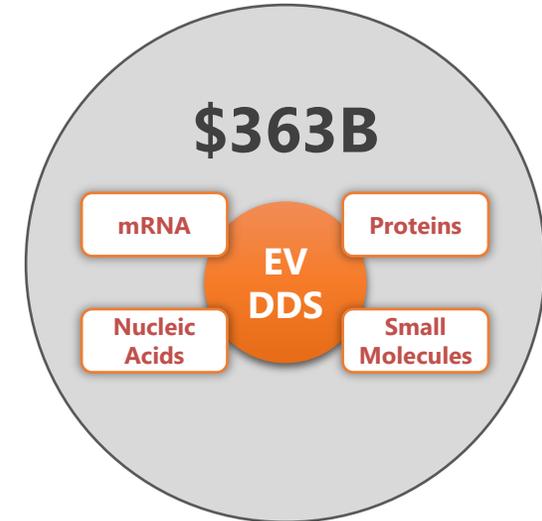
抗炎症・線維化薬\*2



感染症ワクチン\*3



次世代DDS\*4



\*1 Assisted Reproductive Technology Market Size & Share Analysis - Growth Trends & Forecasts (2025 - 2030), Mordor Intelligence Research & Advisory. (2025, June).

\*2 Inflammation & fibrosis drugs (combined): Anti-inflammatory, USD 196.81 B by 2031 (Straits Research); PLUS Antifibrotic, USD 7.62 B by 2033 (Verified Market Reports)

\*3 Vaccine market: projected to reach approx. USD 100 B by 2030 (WHO estimate)

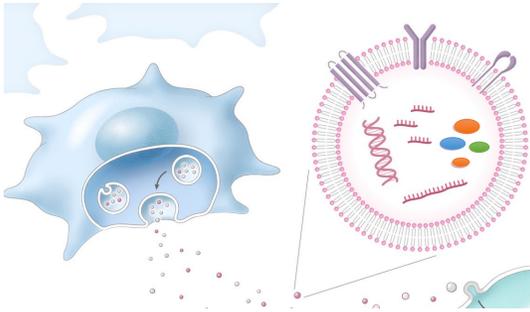
\*4 Advanced DDS: USD 362.77 B by 2030 (Mordor Intelligence, "Advanced Drug Delivery Systems Market Size & Share," June 2025)

### 3. Platform Technologies

高活性化技術およびCargo Loadingが生み出す**新規な作用メカニズム**と、膨大な自社データに裏付けられた**高度なCMC基盤**が、差別化されたアセットを生み出す。

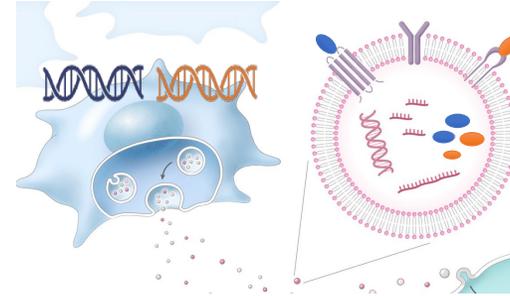
#### Prime EV™

細胞プレコンディショニングで天然型(Naive) EVの活性成分を強化。**キーコンポーネントをQCマーカー化\***<sup>1</sup>



#### Engineered EV

タンパク質を自在に搭載する**Cargo Loading**技術\*<sup>2</sup>。日米特許登録\*<sup>3</sup>で競合に対して**高い排他性を確立**



#### Advanced CMC

- ✓ 1000ロット超の品質・薬理データに基づく高い精度での**薬効予測**と**品質一貫性**。
- ✓ 医療用EVの**ISO国際標準策定メンバー**として基準開発に貢献（国衛研主導）。

\*1: WO/2024/242132

\*2: J Immunol (2017) 198 (12): 4707–4715.

\*3: US12,209,115B2, US12,319,727B2, JP6786074

## 4. Pipeline Overview

早期の収益基盤となる**IVF添加剤EXP02**、臨床間近の**天然型(Naïve)EXP01**、中長期に**First in class**のプラットフォーム展開を狙う**EXP03**によるバランス型ポートフォリオ。

Asset	Target Disease	Research	Preclinical	Clinical	Marketing	Note
<b>EXP02:</b> IVF添加剤	Naïve 不妊症			2026 Japan	<b>2028 Japan</b> 2029 Global	良好胚盤胞の獲得率を向上。 日本先行 → グローバルへ
<b>EXP01:</b> 抗炎症・抗線維化薬	Naïve 肺障害 (IPF, ARDS)					有効性と安全性のバランスを兼ね備え、 <b>既存薬の課題を解決</b>
	アトピー性皮膚炎					外用で「 <b>炎症抑制</b> 」と「 <b>皮膚バリア再建</b> 」を同時に実現
<b>EXP03:</b> 改変EVワクチン	Engineered 呼吸器感染症					<b>経鼻投与型多価ワクチン。</b> Engineered EVリードプログラム。
<b>改変EV適応拡大</b>	Engineered ①がんEVワクチン ②中枢移行性を高めた核酸送達EV ③自己免疫疾患に対する免疫寛容誘導EV (基礎データ取得済)					

# 5. EXP01-Dermatology (Atopic Dermatitis)

Naïve



世界2億人以上の患者に新たな選択肢を。皮膚疾患へのアプローチを「鎮火」から「防火」にパラダイムシフト。

**製品**：「炎症抑制」と「皮膚バリア再建」を同時に実現する外用製剤

**ポジショニング**：中等症に対してTCS/TCIの長期代替。

重症に対してBiologics/JAK阻害剤の補完。

**In vivo有効性**：

- ✓ 臨床スコアを78%改善。経皮投与でステロイドを凌駕。
- ✓ 経皮水分蒸散量を基準値近くまで回復し、皮膚バリア修復を実証。

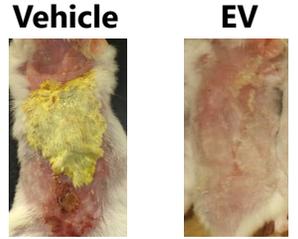
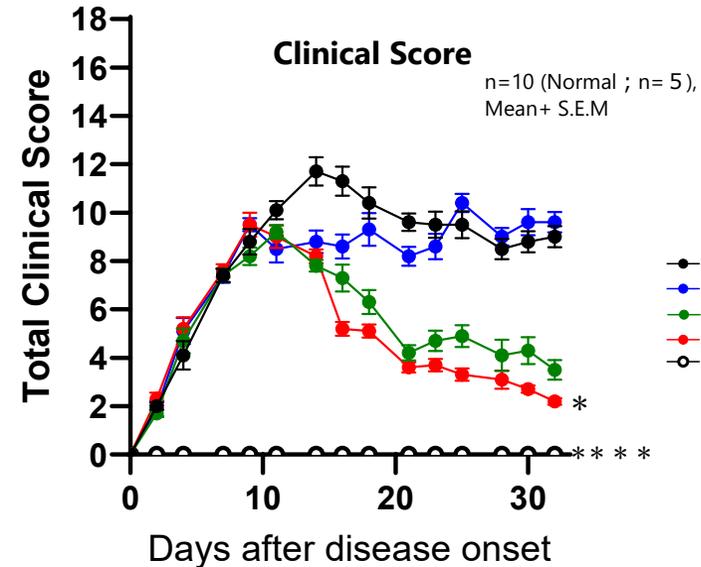
**安全性**：長期使用で体重減少・胸腺萎縮なし。安全性を確認。

**知財・差別化**：特許出願済\*1。皮膚バリア再建型外用製剤としてFirst-in-class。

免疫抑制リスクなく慢性使用に適合。

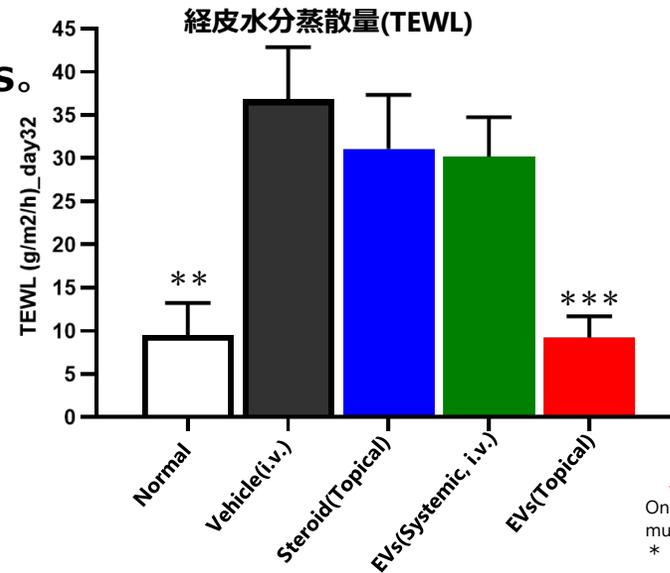
**出口戦略**：2028年P1/2a。

\*1: 特願2025-110365



- Vehicle
- Steroid(Topical)
- ▲ EVs(Systemic, i.v.)
- ◆ EV(Topical)
- Normal

Kruskal-Wallis test followed by Dunn's multiple comparisons test. vs vehicle  
\*:P<0.05, \*\*\*: P<0.0001



バリア機能破綻



n=10 (Normal ; n= 5), Mean+ S.E.M

バリア機能回復

One-way ANOVA followed by Dunnett's multiple comparisons test. vs vehicle  
\*:P<0.01, \*\*\*: P<0.005

# 6. Team

豊富な経営経験、製薬バックグラウンドを持つ研究・CMC・臨床・BDの専門家チーム。



代表取締役社長  
口石 幸治

バイオベンチャーの豊富な  
経営経験とグローバル人脈



創薬研究部 部長  
金子 いずみ Ph.D.

豊富な創薬研究経験、創業時よ  
り研究全体を統括



事業開発部 部長  
井本 淳一 PhD MBA

創薬研究経験を生かした事業開  
発に強み。神戸大大学院 医学研  
究科博士課程修了



CMC開発部 部長  
田村 健一 MBA

細胞医薬の薬事担当経験が豊富  
再生医療ガイダンスに係る研究  
を経験



臨床開発部 部長  
山内 智香子 PhD

豊富な臨床開発及び当局対応  
経験。グローバルCROで日本  
の臨床開発部門を統括



Project Manager  
米倉 敏哉 PhD

がん・免疫領域の創薬が専門。EV  
改変技術の基盤を構築し、EVワク  
チンの非臨床POCを取得。



# Closing

- 当社は、**不妊治療・炎症性疾患・感染症**といった世界的課題に対し、細胞外小胞という次世代モダリティで新しい解決策を提供します。
- **消耗品モデルによる早期の収益確立と、医薬ライセンス及びDDS技術ライセンスによる持続的成長**を実現し、世界の医療を変革します。