

2018年6月14日

報道関係各位

アレクシオンファーマ合同会社

この資料は、アレクシオン・ファーマシューティカルズ（米国コネチカット州ニューヘイブン）が2018年6月11日（現地時間）に発表したプレスリリースの日本語抄訳で、参考資料として提供するものです。その内容および解釈については英文プレスリリースが優先されます。英文プレスリリースは <http://www.alexion.com> をご参照ください。

## アレクシオンと Complement Pharma 神経変性疾患に対して前臨床段階で開発中の補体阻害薬に関し パートナーシップ契約を締結

- 今回の連携は、アレクシオンの20年以上にわたる補体領域におけるリーダーシップ拡大の可能性をもたらす。
- Complement Pharma には、第1b相試験を通して合計で最大1,400万ユーロがマイルストーン達成毎に支払われる。
- アレクシオンは、本契約の期間中に Complement Pharma を取得する選択権を有している。

2018年6月11日、米国コネチカット州ニューヘイブン&アムステルダム--アレクシオン・ファーマシューティカルズと Complement Pharma は、本日、神経変性疾患に対して前臨床段階で開発中の補体C6阻害薬であるCP010を共同開発するためのパートナーシップ契約を締結したことを発表しました。C6の阻害は、補体活性化により形成され細胞を破壊する、終末補体タンパク質の複合体である膜侵襲複合体（MAC）の形成を阻止します。また、C6の阻害は様々な中枢神経系疾患を治療できる可能性があります。本契約の条件に基づいて、アレクシオンは第1b相試験を通して合計で最大1,400万ユーロをマイルストーン達成毎に Complement Pharma に支払います。またアレクシオンは、本契約の期間中に Complement Pharma を取得する選択権を有します。

アレクシオンのエグゼクティブ・バイスプレジデントでR&Dヘッドであるジョン・オーロフは次のように述べています。「アレクシオンは、世界初の補体阻害薬であるソリリスの開発以来、補体領域のパイオニアであり続けてきており、制御不能な補体活性によって引き起こされる複数の疾患にC5阻害が大きな影響を与えることを示してきました。本連携は、当社が20年以上にわたって蓄積してきた補体に関する専門知識を更に広げ、補体系の異なる成分であるC6を標的とすることで更なる疾患を治療することができるという素晴らしい機会をもたらしてくれます」。

Complement Pharma のチーフ・サイエンティフィック・オフィサーであるフランク・バース医学博士は次のように述べています。「多くの疾患における補体の役割に対する我々の理解は深まっており、多くの神経変性疾患が、疾患の早期段階においてさえも補体系の活性化を示しています。C6を阻害することで、複数の神経変性疾患を治療できる可能性があり、補体領域における世界的リーダーであるアレクシオンと共に開発することで、このアプローチの可能性を実現できるものと期待しています」。

本契約の条件に基づいて、アレクシオンと Complement Pharma は CP010 の開発プログラムを共同で実施します。Complement Pharma は、前臨床および第 I 相試験の実施、ならびに CP010 の製造を担います。この契約期間は第 1b 相試験の完了まで、段階的に延長されます。アレクシオンは、本契約の期間中に Complement Pharma を取得する選択権を有します。

CP010 は前臨床開発の段階にあるヒト化モノクローナル抗体であり、血液中の C6 に結合して体内の C6 の機能を阻害し、末梢および中枢神経系の両方において MAC の形成を阻止します。補体の活性化カスケードの最終産物である MAC は、神経変性において一定の役割を果たすことが示されています。CP010 は試験管内 (*in vitro*) および生体内 (*in vivo*) の両方において C6 の阻害を示します。C6 の阻害は補体の活性化によって生じる MAC 形成を阻止し、それによって様々な中枢神経系疾患の治療を実現する可能性があります。

### アレクシオンについて

アレクシオン・ファーマシューティカルズは、生活を変えるような革新的な治療薬を提供することで、希少疾患の患者さんご家族に貢献することに注力するグローバルなバイオ製薬企業です。アレクシオンは、発作性夜間ヘモグロビン尿症 (PNH)、非典型溶血性尿毒症症候群 (aHUS) および抗アセチルコリン受容体 (AChR) 抗体陽性の全身型重症筋無力症 (gMG) の患者さんに対する治療薬として初めてかつ唯一承認されている補体阻害薬を開発し、製造販売しています。また、アレクシオンは、低ホスファターゼ症 (HPP) とライソゾーム酸性リパーゼ欠損症 (LAL-D) といった生命を脅かす超希少疾患の患者さんに対する 2 つの非常に革新的な酵素補充療法を有しています。アレクシオンは、20 年以上にわたる補体領域のリーダーとして、補体カスケードにおける新しい分子やターゲットの研究に重点的に取り組んでおり、血液、腎臓、神経、および代謝性疾患といったコアとなる治療領域の開発にも重点をおいています。本プレスリリースとアレクシオンに関する詳細については、[www.alexion.com](http://www.alexion.com) をご覧ください。

### Complement Pharma について

Complement Pharma は神経変性疾患の進行を抑える補体阻害薬に重点的に取り組んでいるバイオテクノロジー企業です。Complement Pharma は 2017 年に、補体 C6 阻害薬を急性および慢性の神経変性疾患患者さんの治療薬として開発することを目的として、フランク・バース (Frank Baas) とロバート・ジャン・ラマーズ (Robert Jan Lamers) によって創立されました。Complement Pharma に関する詳細については、[www.complementpharma.com](http://www.complementpharma.com) をご覧ください。

### 将来予測に関する記述

本プレスリリースには、医薬品の発見、臨床開発、アレクシオンと Complement Pharma の契約から帰結する開発と薬事的マイルストーン、CP010 の潜在的利益 (様々な疾患を治療する可能性を含む)、C6 阻害の潜在的利益や本取引がアレクシオンにもたらす潜在的利益 (補体経験の拡大を含む) など、1995 年米国民事訴訟改革法の定義における将来予測に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、将来予想に関する記述中に示されているアレクシオンの業績と計画を著しく異なるものにする可能性のある要因に左右されます。たとえば、CP010 に関する研究の妥当性に関する規制当局の決定、契約で定められた CP010 に関するマイルストーンの達成失敗、販売承認の取得失敗、CP010 に基づく製品と潜在的製品の実質的な販売制限、そのような製品および関連する製品候補の製造と供給の失敗、米食品医薬品局などの規制当局が申し立てた事項への不十分な対応、臨床試験の結果が幅広い患者母集団における安全性と有効性を示さない可能性、承認申請可能な製品候補の臨床試験が遅延する可能性、不適切な市販後医薬品安全性監視プロセスおよび医薬品安全性報告プロセス、法律的

な手続きを巡る不確実性、社内調査及び米国証券取引委員会（SEC）や司法省の調査など政府によるアレクシオンの調査、承認申請が遅れるという予想のリスク、当社のリストラの潜在的影響に関するリスク、SEC に対するアレクシオンの提出書類で随時開示するその他の多様なリスク（2018 年 12 月 31 日を終了日とする期間の Form 10-K のアレクシオン年次報告書および SEC に対するその他の提出書類で開示したリスクを含むが、これらに限定されない）などです。アレクシオンは、法律に基づき義務が生じた場合を除き、本プレスリリースの発表日後に発生した事象または状況を反映するため、この将来に関する記述を更新する予定はありません。

《本件に関するお問い合わせ先》  
アレクシオンファーマ合同会社 コミュニケーション部  
TEL : 03-5795-0740 FAX : 03-5795-0765  
Email : Info.Japan@alexion.com