



プレスリリース（日本語訳）

2019年11月11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（米国マサチューセッツ州ボストン）が2019年10月16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。

アレクシオンが Achillion を買収

- 臨床段階にある経口低分子 D 因子阻害薬がアレクシオンのパイプラインに追加
- 血管外溶血（EVH）がみられる発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）患者さんの治療を向上させる機会を提供し、ファースト・イン・クラスの C3 腎症の治療薬となる可能性があるとともに、さらなる補体第二経路介在性希少疾患を対象とした D 因子阻害に対する有望な開発プラットフォームとなる
- 初期段階では 1 株当たり 6.30 ドルの全額現金取引、条件付対価が追加される可能性込みで総取引額は 1 株当たり最高 8.30 ドル

2019年10月16日、米ボストン及びブルーベル--アレクシオン・ファーマシューティカルズと Achillion Pharmaceuticals, Inc.は、本日、アレクシオンによる Achillion の買収に関して最終的な合意に達したことを発表しました。Achillion は、発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）や C3 腎症などの補体第二経路介在性希少疾患の治療のために、経口低分子 D 因子阻害薬の開発に注力している臨床段階のバイオ医薬品企業です。現在、Achillion では、第 II 相臨床試験の段階で開発中の danicopan（ACH-4471）と第 I 相臨床試験の段階で開発中の ACH-5228 を含む 2 つの臨床試験段階の医薬品を開発中です。

「アレクシオンは、C5 の阻害が複数の深刻な希少疾患に対して革新的な影響をもたらすことを明らかにしてきました。しかし、これは補体阻害の持つ可能性の一端に過ぎないと考えています。」と、アレクシオンの最高経営責任者であるルードヴィッヒ・ハンソン（Ludwig Hantson, Ph.D.）は述べています。「D 因子の阻害により、補体系の異なる部分の経路（第二経路）を標的とし、補体カスケードのさらに上流で起こる制御不能な補体の活性化に対処します。そして重要なことは、感染に対する抵抗力を維持する上で重要な残りの補体経路には影響を与えないことです。このアプローチが現在 C5 阻害で対処できない疾患を有する患者さんに役立つ可能性があると考えています。経口 D 因子阻害薬の持つ可能性を引き出し、それらのベネフィットを患者さんにお届けするために、約 30 年間にわたり当社が積み上げてきた補体ならびに開発に関する専門知識を活用できることを楽しみにしてい

ます。」

「Achillion は、補体の第二経路に関係した免疫関連疾患に対して、治療薬としての可能性を持ついくつかの低分子化合物を発見し臨床段階へと進めることで成長してきました。」と、Achillion のプレジデント兼最高経営責任者である Joe Truitt 氏は述べています。「当社の主な候補化合物である danicopan (ACH-4471) の proof-of-concept (治療概念の実証) と proof-of-mechanism (作用機序の検証) は、PNH と C3 腎症それぞれに対して既に取得しています。その他の疾患の治療においても同様に D 因子阻害は大きな可能性を有すると考えています。アレクシオンは、補体介在性疾患を対象とした医薬品の開発において確固とした地位にあるトップ企業です。Achillion は、このアプローチによる広範囲の可能性を確実に実現させ、新たな治療法を患者さんにいち早くお届けできるように、アレクシオンと協働していくことを楽しみにしています。従業員、投資家、および提携先の皆様による多大なお力添えと取り組みに感謝申し上げます。」

取引の詳細

当初の対価として、約 9 億 3,000 万ドル (Achillion の普通株式 1 株あたり 6.30 ドル) は、手持現金で資金調達されます。買収の一環として、アレクシオンは、現在 Achillion の貸借対照表に記載されている現金も取得する予定です。この金額は 2019 年 9 月 30 日時点において、約 2 億 3,000 万ドルで、実際の金額は取引完了時点で確定されます。この取引には、取引不可能な不確定価額受領権 (CVR) の形で追加的対価が含まれる可能性があります。これは、定められた期間内に临床上および規制上の特定のマイルストーンが達成された場合に、Achillion の株主に支払われます。これには、danicopan に対する米国食品医薬品局 (FDA) の承認が得られた場合には 1 株当たり 1.00 ドル、また ACH-5228 の第 III 相臨床試験が開始された場合には 1 株当たり 1.00 ドルが支払われることが含まれます。

アレクシオンによる Achillion の買収には、Achillion の株主による承認、ハート・スコット・ロディノ反トラスト改正法 (Hart-Scott Rodino Antitrust Improvements Act) に基づく決済を含む、慣習的な買収条件を満たすことや所轄規制当局による承認が必要となります。これらの承認を待って、2020 年上半期には本取引が完了する見込みです。

D 因子について

D 因子は必須セリンプロテアーゼであり、自然免疫系の一部である補体系の第二経路において重要な制御ポイントとなります。Achillion の補体プラットフォームは、第二経路を阻害する経口低分子の開発に注力しており、補体第二経路が重要な役割を果たす免疫関連疾患の治療に利用できる可能性があります。PNH、C3 腎症、および免疫複合体を介した膜性増殖性糸球体腎炎 (IC-MPGN) などの疾患は、現在評価中の化合物の適応になる可能性があります。

発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）について

PNHは、慢性かつ進行性・消耗性の生命を脅かす恐れのある、極めて稀な血液疾患で、免疫系の構成要素である補体の制御不能な活性化により引き起こされる溶血（赤血球破壊）が特徴です。PNHの患者さんは、疲労、嚥下困難、息切れ、腹痛、勃起不全、色の濃い尿（ヘモグロビン尿）、貧血など多様な徴候や症状を呈することがあります。慢性的な溶血による深刻なケースでは、全身の血管に血栓症が生じる可能性があり、これにより重要臓器が損傷し早期死亡の原因となる場合があります。PNHは、本質的には血管内溶血（IVH）疾患であり、血管内で赤血球破壊が起こります。C5阻害は、PNH患者さんでみられるIVHの合併症、および血栓症やさらに死亡を引き起こすLDH値の上昇に寄与します。しかし、C5阻害薬の投与を受けた患者さんのごく一部（10%未満）では、血管外で赤血球破壊が発生することで引き続き臨床的血管外溶血（EVH）が起こります。結果的に、これらの患者さんは治療を受けているにもかかわらず輸血に依存することになります。補体系の第二経路におけるD因子阻害は、第二経路の活性化を選択的に抑制し赤血球破壊を防ぐ可能性がある一方で、感染を防御する他の補体系に影響を与えることはありません。

C3腎症について

C3腎症は極めて稀な腎疾患で、承認された治療薬はありません。この疾患は、腎臓の濾過装置である糸球体に補体C3分解産物が沈着することが特徴で、補体第二経路の過剰な活性化が原因で起こります。時間の経過とともにC3分解産物が慢性的に蓄積することで、永久的な腎障害や腎不全に至ります。現在、C3腎症の患者さんは、腎障害の進行を遅らせるために、ステロイドや広範囲な免疫抑制剤による治療を受けています。経口D因子阻害薬は、第二経路の過剰活性化を妨げ、C3の蓄積を減少するproof-of-mechanismが既に実証されており、C3腎症の根本的な原因を標的とする新たな治療アプローチとなる可能性があります。

アレクシオンについて

アレクシオンは、生活を変えるような革新的な治療薬を発見、開発、販売することで、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、20年以上にわたる補体領域のリーダーとして、発作性夜間ヘモグロビン尿症（PNH）の患者さんに対する治療薬として承認された2つの補体阻害薬、ならびに非典型型溶血性尿毒症症候群（aHUS）、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）そして視神経脊髄炎スペクトラム（NMOSD）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た補体阻害薬を開発し、製造販売しています。アレクシオンはまた、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。更に、アレクシオンは現在、第二の補体阻害薬、ウィルソン病に対する銅結合剤、稀な免疫グロブリンG（IgG）介在性疾患に対する抗胎児性Fc受容体（FcRn）抗体などを中・後期の段階で開発しており、また軽鎖（AL）アミロイドーシスに対するFcRn抗体や、2つ目の抗FcRn療法などを初期の段階で開発しています。アレクシオンは、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、神経系、および代謝性疾患といった重点治

療領域の開発にも重点をおいています。アレクシオンは、7年連続でフォーブス誌の「世界で最も革新的な企業」にリストアップされています。アレクシオンはマサチューセッツ州ボストンを拠点とし、世界中にオフィスを有し、50カ国以上の患者さんに貢献しています。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をご覧ください。

Achillion Pharmaceuticals について

Achillion は、経口低分子補体阻害薬を後期開発段階および製品化へと進めることに力を入れている、臨床段階のバイオ医薬品企業です。研究では、過剰活性化された補体系が、腎臓疾患、血液疾患、眼科疾患、および神経疾患といった治療領域を含む複数の病態において重要な役割を果たすことが示されています。Achillion は当初、薬剤開発の活動の焦点を、承認された治療薬がないか、もしくは既に治療法があっても患者さんにとっては不十分である補体介在性疾患に当てていました。評価中の化合物において適応となる可能性がある疾患には、PNH、C3 腎症、および IC-MPGN があります。C5 阻害薬単剤では治療反応性が不十分な sub-optimal responder の PNH の患者さんを対象として C5 モノクローナル抗体と併用した danicopan は画期的治療薬に指定されています。Achillion の経口低分子化合物ポートフォリオにある製品候補それぞれが自社研究所で発見されており、同社が完全な所有権を有しています。治験薬候補を第 III 相臨床試験および製品化へと進めるため、Achillion は、医療専門家、患者、規制当局、および支払者を含む、主な利害関係者と密接に連携していきます。詳細については <http://www.achillion.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、下記の記述を含め、アレクシオンによる Achillion の買収案に関連した、将来予測に関する記述が含まれています：この買収が EVH のみられる PNH 患者さんの治療を向上させる機会を提供すること。ファースト・イン・クラスの C3 腎症治療薬となる可能性とともに、第二経路の補体が介在する更なる希少疾患を対象とした D 因子阻害に関する有望な開発プラットフォームを含めた、Achillion 製品の治療ベネフィット。アレクシオンが、C5 補体阻害に関する同社の成果は補体阻害の持つ可能性の一端に過ぎないと考えていること。アレクシオンが、異なる補体経路を阻害することにより、現在 C5 阻害で対処できない疾患を有する患者さんの役に立つ可能性があると考えていること。その補体阻害薬プラットフォームを利用することにより、Achillion には、補体系の第二経路に関係した免疫関連疾患の治療薬となる可能性を持つ臨床段階の低分子化合物がいくつかあること。アレクシオンが、その他の疾患の治療においても同様に D 因子阻害は大きな可能性を有すると考えていること。アレクシオンが、Achillion の幅広いアプローチの完全な実現を確実なものにすること。買収完了予定日。そして、Achillion の補体プラットフォームは、第二経路を阻害し、補体第二経路が重要な役割を果たす免疫関連疾患の治療に利用できる可能性のある経口低分子化合物の開発に力を入れているということ。

次のような、複数の重要な要因により、実際の結果が「将来予測に関する記述」と著しく異なったものとなる可能性があります：アレクシオンによって提案された Achillion の買収が完了しないリスク。

買収を完了するために必要とされる株主の承認が得られない。提案された買収に対して必要とされる規制当局による承認が得られない（または承認が延期される）。買収契約書に定められた買収条件を満たしていない（または放棄）。Achillion のプラットフォームと治療薬から期待されるベネフィットが実現されない。Achillion 製品の今後の臨床試験で、その治療薬が規制当局の求めるレベルの安全性や有効性を示さない。研究や臨床試験、販売承認、または Achillion 製品の販売促進資料に関する制限の妥当性に関する規制当局の判断。製品候補に対する規制当局からの承認取得の遅延または失敗。規制上の制限による製品候補の上市の遅延または失敗。予想外の経費。製品や製品候補の製造および供給の中断または不足。FDA やその他規制当局から提起された問題に対する不十分な対応。臨床試験の結果が、より広範な患者集団を対象として製品を使用した場合の安全性および有効性を予測するものではない可能性。さまざまな理由により、製品候補による臨床試験が延期される、またはその完了前に終了する可能性。医薬品安全性監視と医薬品安全性報告プロセスの妥当性。アレクシオンまたは Achillion が随時証券取引委員会（SEC）に提出する文書に定めたその他のさまざまなリスク（これには 2019 年 6 月 30 日を期末とする Form 10-Q によるアレクシオン四半期報告書および SEC に提出するその他文書に記載したリスク、ならびに 2019 年 6 月 30 日を期末とする Form 10-Q による Achillion 四半期報告書および SEC に提出するその他文書に記載したリスクが含まれるが、それらに限定しない）。

アレクシオンおよび Achillion では、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に、この将来予測に関する記述を更新する義務を負うものではありません。

提案された取引に関する補足情報とその記載先

提案された取引に関連して、Achillion は SEC に対し Schedule 14A に関する委任状を提出します。Achillion はさらに、提案された取引に関連してその他関連資料を SEC に提出する予定です。本資料は、委任状や Achillion が SEC に提出する可能性のあるその他文書の代わりとなるものではありません。最終的な委任状は Achillion の利害関係者に送付または手渡されます。これには提案された取引と関連事項に関する重要な情報が記載されています。投資家および Achillion の証券所有者には、SEC に保管された、提供された、保管される予定である、または提供される予定である委任状およびその他関連文書に加え、当該文書に対して修正や補足があったりした場合にも慎重に目を通しておくことが強く求められます。また、提案された取引に関する投票や投資決定を行う前には、その全文を読んでおく必要があります。なぜなら、これらの文書には今回の取引や関連事項、また取引の当事者についての重要な情報が記載されている、または記載されることになっているからです。Achillion が SEC に提出する資料は、SEC のウェブサイト (www.sec.gov)、または Achillion のウェブサイト (www.achillion.com) の「Investors & News」から入手できます。

Achillion の専属財アドバイザーは Centerview Partners であり、法律顧問は Skadden, Arps, Slate, Meagher & Flom LLP です。

委任状勧誘における代理行使者

この通知は、提案された取引に関して株主の委任状勧誘を行うものではありません。しかし、アレクシオン、Achillion、および両社の取締役や執行役員は、提案された取引に関連した委任状勧誘における代理行使者として検討される可能性があります。アレクシオンの取締役および執行役員に関する情報は、2018年12月31日を年度末とする Form 10-K による年次報告書に書かれています。この年次報告書は2019年2月6日に SEC に提出されました。また、2019年5月14日に開催された年次株主総会の委任状は、2019年3月26日に SEC に提出されました。Achillion の取締役および執行役員に関する情報は、2018年12月31日を年度末とする Form 10-K による年次報告書に書かれています。この年次報告書は2019年3月7日に SEC に提出されました。また、2019年5月30日に開催された年次株主総会の委任状は、2019年4月15日に SEC に提出されました。場合によっては、Achillion の株主の利益とは異なる、委任状勧誘における代理行使者の利益に関する補足情報は、一般に、その取引に関する委任状の中に委任状が利用可能となった場合に書かれることになります。(利用可能になれば) これらの文書は、SEC の管理するウェブサイト (<http://www.sec.gov>) から入手することができます。アレクシオンが SEC に提出した文書の写しは、アレクシオンのインターネットウェブサイト (<http://www.alexion.com>) の「Investors」のタブにある「SEC Filings」の項目から入手するか、アレクシオンの Investor Relations Department (investorrelations@alexion.com) にお問い合わせください。Achillion が SEC に提出した文書の写しは、Achillion のインターネットウェブサイト (<http://www.Achillion.com>) の「Investors and News」のタブにある「SEC Filings」の項目から入手するか、Achillion の Investor Relations Department (<http://ir.achillion.com/contact-us>) にお問い合わせください。

《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