



プレスリリース（日本語訳）

2019年12月25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12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、Dicerna™との共同研究で補体介在性の標的に関する 2つのGalXC™ RNAiプログラムの追加オプションを行使

—本オプション行使により、Dicernaに2,000万ドルが支払われる—

2019年12月16日、米ボストンおよびレキシントン（マサチューセッツ州）－アレクシオン・ファーマシューティカルズとDicerna™ Pharmaceuticals, Inc.（以下、Dicerna）は本日、補体経路内の2つの標的に関するGalXC™ RNAi（リボ核酸干渉）分子の創薬と開発について、独占権の追加オプションをアレクシオンが行使したことを発表しました。これにより、両者間で既に行っている共同研究とライセンス契約の範囲が拡大し、補体経路内の4つの標的が網羅されます。このオプション行使に関連して、アレクシオンはDicernaにオプション行使料として1標的あたり1,000万ドル、総額2,000万ドルを支払うこととなります。

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。「制御不能な補体の活性化を新たな方法で阻害できる可能性があるGalXC RNAi治療の創薬と開発に関するDicernaとの提携は、補体介在性疾患に対する新薬の開発においてリーダーシップを拡大している当社にとって素晴らしい機会になります。提携が順調に進んでいること、またこの1年の間にチームが強力な関係を築き上げたことを心強く思っており、補体経路の標的を追加するという当社の取り組みがさらに拡大することを喜ばしく思います」

Dicernaのプレジデント兼CEOであるダグラス・M・ファンブロー博士は次のように述べています。「補体分野において20年以上の経験を有するアレクシオンは、まさしくこの分野におけるリーダーです。補体関連疾患の治療に関するGalXC RNAiをベースとした新薬候補を同定するという目標に向かって、提携が今日に至るまで順調に進んでいることを当社としても非常に嬉しく思います。別の治療領域で一緒に行っている提携に加え、追加オプションを行使するという今回のアレクシオンの判断は、さまざまな疾患の治療における新規のモダリティとしてRNAi治療が持つ大きな潜在的

可能性に対する認識が高まっていることを示していると思います。RNAi がもたらす新たな展開の最前線にいること誇りに思うとともに、2020 年には、主力となる開発ポートフォリオが引き続き発展し、提携プログラム全体が進展することを楽しみにしています」

2018 年 10 月から始まったアレクシオンと Dicerna との提携は、今回のオプション行使により、補体介在性疾患の治療に対して補体経路における合計 4 つの標的を対象に、皮下投与による GalXC RNAi 分子の創薬と開発に焦点を当てることとなります。Dicerna は前臨床段階における共同研究を主導し、アレクシオンは第 I 相臨床試験から始まる臨床開発を主導していきます。この契約によりアレクシオンは、開発および承認関連マイルストーンや発売時マイルストーン、そして今後の製品の売り上げに対する一桁台半ばから二桁台前半のライセンス料の支払いと引き換えに、共同で開発された GalXC RNAi 分子に対する全世界における独占的ライセンスと商業上の権利を取得することとなります。

補体系について

補体系とは、生体から微生物や損傷した細胞を取り除き、炎症を促進し、病原体の細胞膜を攻撃するために、抗体の力を増強または補完する免疫系の一部です。補体系は健康維持に不可欠である一方、過剰な補体活性化は多数の深刻な疾患を引き起こす可能性があります。

Dicerna の GalXC™ RNAi テクノロジープラットフォームについて

Dicerna 独自の RNA 干渉 (RNAi) テクノロジープラットフォームである GalXC™は、肝臓およびその他の組織で疾患を引き起こす遺伝子の発現を抑制するよう考案された RNAi ベースの次世代治療法の開発を推進することを目的としています。肝臓を標的とする GalXC ベースの化合物は、皮下投与することで肝細胞上の受容体と特異的に結合するよう設計された RNAi 治療薬を体内に送ることができ、その結果、細胞内で RNAi が作用するようになります。GalXC のアプローチは、RNAi が最も特異的かつ強力に作用するように、RNAi 経路の活性の最適化を追求しています。GalXC を介して生成された化合物は、肝疾患およびそれ以外の適応症を含め、様々な治療領域において幅広く応用されることを目指しています。

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と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ぺ

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。

Dicerna™ Pharmaceuticals, Inc.について

Dicerna™ Pharmaceuticals, Inc.は、リボ核酸干渉 (RNAi) を利用して疾患を引き起こす遺伝子の発現を抑制する医薬品を開発するバイオ製薬企業です。同社は、独自の GalXC™技術を利用して、希少疾患、慢性肝疾患、心血管疾患、神経変性疾患、疼痛およびウイルス感染症に対する強力で特異的、かつ安全な RNAi 治療薬を開発しています。Dicerna は、疾患の関連性が十分に解明され、裏付けられている遺伝子に的を絞り、肝疾患だけでなく幅広い疾患に対し、疾患の根本原因に対処することで疾患を治療することを目的としています。Dicerna は、独自で、または提携先である製薬企業と共同で、新たな治療法の発見、開発、および販売を目指しています。Dicerna は、ノボ ノルディスク*、ロシュ*、イーライリリー、アレクシオンおよびベーリンガーインゲルハイムと戦略的提携を結んでいます。詳細については、www.dicerna.com をご覧下さい。

*ノボ ノルディスクおよびロシュとの取引は、1976 年のハート・スコット・ロディノ反トラスト改正法 (Hart-Scott-Rodino Antitrust Improvements Act) およびその他慣習的締結条件に基づくクリアランスの対象となります。

Dicerna™および GalXC™は Dicerna Pharmaceuticals, Inc.の登録商標です。

将来予測に関する記述

本プレスリリースには、将来予測に関する記述が含まれています。この将来予測に関する記述の中には、表現または示唆された内容と実際の結果が著しく異なるリスクや不確実性を伴うものがある可能性があります。将来予測に関する記述の例として、次のような記述が含まれます：(i) オプショ

ン行使料の受け取り；(ii) 制御不能な補体の活性化を新たな方法で阻害する可能性を含め、GalXC™の持つ治療上および商業上の可能性；(iii) GalXCに関連したアレクシオンによる研究開発計画；(iv) RNAi治療法が補体媒介性疾患およびさまざまな疾患の治療薬となる可能性；(v) アレクシオンと Dicernaの提携に関する可能性およびこの提携がアレクシオンにとって補体媒介性疾患を適応とした新薬の開発においてそのリーダーシップを発展していく上で、有望な可能性をもたらすものとなること。GalXC といった早期段階にあるプラットフォームが承認された製品となるまでの過程は長期にわたり、特に前臨床研究の提携については非常に重大なリスクにさらされることがあり、このプラットフォームで期待されたベネフィットが実現しない可能性があります。また、この提携の4つの標的が製品化されない可能性や、これが判明するのが提携した両社がかなりの投資を行った後である可能性もあります。該当するリスクや不確実性には、アレクシオンと Dicerna の最新の Form 10-Q および米国証券取引委員会（SEC）に今後提出する報告書にある「リスク要因」という項目に特定された前臨床研究およびその他のリスクに関連したものも含まれます。このプレスリリースに含まれる将来予測に関する記述は、将来の出来事に対するアレクシオンおよび Dicerna の現在の見解を反映したものであり、法による定めのない限り、アレクシオンと Dicerna のいずれも、将来予測に関する記述を更新する義務は負わないものとします。

以上

《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