



## プレスリリース（日本語訳：参考資料）

2019年10月4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9月9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 BridgeBio が日本におけるライセンス契約を発表

- Eidos が治験中のトランスサイレチン型アミロイドーシス (ATTR) 医薬品について -

- Eidos がアレクシオンに日本における AG10 の独占的開発・商業化権を供与 -
- TTR 型心アミロイドーシスにおける AG10 の第Ⅲ相臨床試験が欧米で進行中。TTR 型アミロイドポリニューロパチーの第Ⅲ相臨床試験は 2019 年下半年に開始予定 -
- 合意により、アレクシオンのアミロイドーシス・ポートフォリオが拡大 -
- Eidos は 2,500 万ドルの契約一時金と 2,500 万ドルの株式投資を受領する予定であり、追加で日本におけるマイルストーンおよびロイヤルティ関連の支払いを受ける可能性を有する -

2019年9月9日、米ボストン及びサンフランシスコ--アレクシオン・ファーマシューティカルズと BridgeBio Pharma, Inc.の子会社であるEidos Therapeutics, Inc.は、本日、日本におけるAG10の独占的開発・商業化権をアレクシオンに供与することで合意したことを発表しました。AG10は、トランスサイレチン (TTR) タンパク質と血中で結合し安定化させることで、TTRの不安定化と折り畳みの誤り (ミスフォールド) という、トランスサイレチン型アミロイドーシス(ATTR)の根本原因を治療するようにデザインされた低分子です。Eidosは現在、欧米にてAG10のTTR型心アミロイドーシス (ATTR-CM) に対する評価を第Ⅲ相臨床試験で行っています。ATTR-CMは、ミスフォールドされたTTRアミロイドが心筋に蓄積されることで発症する、進行性で致命的な疾患です。また、EidosはTTR型アミロイドポリニューロパチー(ATTR-PN)の第Ⅲ相臨床試験を開始する予定です。ATTR-PNは、末梢神経系にミスフォールドされたTTRアミロイドが蓄積されることで発症する、進行性で致死的な疾患です。

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 ヘッドであるのジョン・オーロフは次のように述べています。「TTR 型アミロイドーシスに対する新しい治療薬に対しては大きなニーズがあります。AG10 は、TTR を安定化させ疾患の進行を食い止める可能性がある」と期待されています。日本での AG10 の開発に関して Eidos と提携することで、当社のアミロイドーシス・ポートフォリオ

を拡大できることを嬉しく思います。アレクシオンは日本で 10 年以上にわたって事業を展開しており、日本の患者さんに AG10 をお届けするために、私たちの専門知識を役立てることができればと願っています」

Eidos の社長兼チーフ・メディカル・オフィサーであるジョナサン・フォックス医学博士は次のように述べています。「ATTR-CM の第Ⅱ相臨床試験では、AG10 は十分な治療を受けていない ATTR-CM 患者さんの重要な治療選択肢になりうることが示唆されています。この試験では、AG10 の忍容性が概ね良好であることが示され、ATTR-CM の疾患重篤性と相関関係があると知られている TTR のほぼ完全な安定化がもたらされました。また、この試験において AG10 は、ATTR 患者さんの生命予後因子である血清 TTR 値を正常化しました。私たちはこのほど、AG10 の安全性と有効性を、より大規模な試験で評価するために第Ⅲ相臨床試験を開始しました。今回の合意により、アレクシオンのこれまでの開発および上市の経験を日本での AG10 プログラムの拡大に活用することで、世界中でさらに多くの患者さんに貢献できることを期待しています」

今回の契約により、アレクシオンは、日本における AG10 の独占的な開発・商業化権を取得することになります。Eidos は 2,500 万ドルの契約一時金と取引実行時の市場価格にプレミアムが付けられて 2,500 万ドルの株式投資を受領する予定であり、追加で日本におけるマイルストーンおよびロイヤルティ関連の支払いを受ける可能性を有しています。

## AG10 について

AG10 は現在開発中の経口低分子薬であり、トランスサイレチン (TTR) の 4 量体構造を強力に安定化させることで、TTR 型アミロイドーシス (ATTR) を引き起こす一連の分子イベントの発端を止めるように設計されています。

AG10 は TTR 遺伝子の自然発生的変異 (T119M) を模倣して設計されました。この T119M は、一種のレスキュー突然変異だと考えられています。その理由は、病原性のあるいは疾患を引き起こす突然変異を TTR 遺伝子の中に受け継いでいる個人において、T119M も一緒に受け継ぐことによって ATTR が防止または改善されることが示されているからです。知る限りでは、AG10 は、このレスキュー突然変異による構造の安定化を模倣することが観察されている唯一の開発中の TTR 安定化剤です。

ATTR-CM 患者さんにおける AG10 の第Ⅲ相臨床試験である ATTRibute-CM 試験は、現在欧米で進行中です。この試験のパート A では、12 カ月時点での 6 分間歩行距離 (6MWD) のベースラインからの変化が評価されます。この試験のパート B では、30 カ月時点での全原因死亡率と心血管関連による入院頻度の低下が評価されます。さらに、Eidos は、ATTR ポリニューロパチー (ATTR-PN) における AG10 の第Ⅲ相試験を 2019 年下半期に開始する予定です。

## トランスサイレチン型アミロイドーシス (ATTR) について

トランスサイレチン型アミロイドーシス (ATTR) は、患者数が多いにもかかわらず、現在の標準治療は十分でないため、大きな医療ニーズが存在します。ATTR は、遺伝性の変異または老化に起因する TTR の不安定化によって引き起こされます。ATTR は、一般的に、野生型 TTR 型心アミロイドーシス (ATTRwt-CM)、変異型 TTR 型心アミロイドーシス (ATTRm-CM)、TTR 型アミロイドポリニューロパチー (ATTR-PN) の3つに分類され、各疾患型の全世界における患者数は、それぞれ約 40 万人、4 万人、1 万人です。

これら ATTR の3つの疾患型は、全て進行性で致命的な疾患です。ATTRwt-CM と ATTRm-CM の患者さんは未治療の場合、通常 50 歳以上で症状が発現し、生存期間の中央値は診断後 3 年から 5 年です。ATTR-PN の患者さんは未治療の場合、通常 30 代前半か 50 歳以上で症状が発現し、生存期間の中央値は診断後 5 年から 10 年です。ATTR の3つの疾患型は進行するといずれも、深刻な病態を引き起こし、生産性と生活の質に影響を与えるとともに、患者さんの支持療法に対するニーズが徐々に大きくなることに伴う費用により重大な経済的負担をもたらします。

## 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に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抗胎児性 Fc 受容体 (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](http://www.alexion.com) をご覧ください。

## BridgeBio および Eidos について

BridgeBio は、経験豊富な創薬者、開発者、イノベーターからなるチームであり、根源が十分に解明されている遺伝子疾患をターゲットした生命を変える薬剤の開発に取り組んでいます。BridgeBio は、単一遺伝子の欠陥から生じる疾患であるメンデル遺伝病、および明らかなドライバー遺伝子によるがん罹患する患者さんを治療するようなトランスフォーマティブ医薬品を特定し開発するために2015年に設立されました。BridgeBio の15以上の開発プログラムのパイプラインには、早期発見か

ら後期の臨床開発に至るまでの製品候補が含まれています。詳細については、[www.bridgebio.com](http://www.bridgebio.com) をご覧ください。

Eidos は、トランスサイレチン (TTR) アミロイドーシス (ATTR) によって引き起こされる疾患の未だ満たされていない大きなニーズに対処することに焦点を当てた **BridgeBio Pharma** の子会社です。

Eidos は、ATTR 治療のための潜在的な疾患修飾療法である **AG10** を開発しています。詳細については、[www.eidostx.com](http://www.eidostx.com) をご覧ください。

## 将来予測に関する記述

この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は、実際の結果がこの記述で表明または暗示されたものと大きく異なる可能性があるリスクと不確実性の影響を受けます。将来予測の関する記述には、以下のような記述が含まれます。(i) 日本およびその他の国における **AG10** の治療ベネフィットと商業的可能性。(ii) **AG10** に関連する開発計画および臨床試験計画。(iii) **TTR** 型心アミロイドーシス、**TTR** 型アミロイドニューロパチーおよびその他の治療に対する **AG10** の可能性。(iv) ライセンス契約に基づくアレクシオンの権利により、**Eidos** と提携して **AG10** の開発を日本に拡大することにより、アレクシオンのアミロイドーシス・ポートフォリオが成長すること。(v) **AG10** が日本で承認される可能性。**AG10** などの製品を開発し、承認されるプロセスは長く、非常に大きなリスクがあります。該当するリスクと不確実性には以下が含まれます。早期臨床試験の結果は、後期または大規模臨床試験の結果（またはより広範な患者集団）の結果を示すものではなく、規制当局による承認を保証できない可能性；臨床試験の結果が、製品の安全性と有効性および効能を予測するものでない可能性（または臨床試験の適切な運用または管理の失敗）があり、そのことにより試験の中止、遅延、または規制当局への承認申請の実施を妨げる可能性、または製品候補の規制当局により承認が認められない可能性；臨床試験の予期せぬ遅延；臨床試験中に得られた追加のデータまたは分析から生じる可能性のある予期せぬ懸念；臨床試験の結果、臨床試験を実施している製品の問題、予想外の費用、またはその他の理由により、製品候補の承認が遅れたり、承認されない可能性；アレクシオン、**BridgeBio**、**Eidos** の最新のフォーム **10-Q** およびそれぞれの **SEC** への今後の申請書に含まれる「リスク要因」という項目に記載される製品開発と承認に関連する追加のリスクおよびその他のリスクを含みます。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、アレクシオン、**BridgeBio**、**Eidos** の将来の出来事に対する現在の見解を反映しています。アレクシオン、**BridgeBio**、および **Eidos** は、法律に基づき義務が生じた場合を除き、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。

《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](mailto:Info.Japan@alexion.com)