

2016年2月1日

アステラス製薬株式会社
クリノ株式会社

網膜色素変性症における遺伝子治療薬 に関する提携のお知らせ

アステラス製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長：畑中 好彦、以下「アステラス製薬」）と、クリノ株式会社（本社：宮城、代表取締役社長：佐竹 典明、以下「クリノ」）は、遺伝子治療^{*1)}薬 AAV-mVChR1（Adeno-associated Virus-modified Volvox channelrhodopsin-1、アデノ随伴ウイルス-改変型ボルボックスチャンネルロドプシン1）^{*2)}について、網膜色素変性症を適応疾患とした全世界における開発・商業化のライセンス契約を締結しましたのでお知らせします。

網膜色素変性症は、進行性の夜盲、視野狭窄、視力低下を主徴とし、やがて色覚の喪失、失明に至る、遺伝子変異に起因する網膜変性疾患です。網膜変性に至る機序については、未だ十分に解明されておらず、臨床的に明確な効果を示す治療法は確立されていません。

改変型VChR1は、岩手大学工学部 富田浩史教授らが創製した新規タンパク質であり、緑藻類が持つチャンネルロドプシン^{*3)}を改変した光受容イオンチャンネルで、幅広い波長の光に反応するのが特徴です。網膜色素変性症モデルラットに、AAV-mVChR1を投与すると、改変型VChR1が網膜神経節細胞に発現し光感知能が回復することが分かっており、AAV-mVChR1は網膜色素変性症患者の視覚を回復させることが期待されています。

アステラス製薬の上席執行役員・経営戦略担当である安川 健司は、次のように述べています。「今回、革新的な新薬の開発へつながる高い科学技術を有するクリノと提携したことを嬉しく思います。AAV-mVChR1の開発を通じて、アンメットニーズが高い眼科疾患に対する革新的な治療を提供し、患者さんへ一層の貢献ができるものと期待しています。本提携は、アステラス製薬が積極的に取り組む眼科領域戦略上、極めて重要であります。アステラス製薬は引き続き本領域へ経営資源を投入していきます。」

クリノの代表取締役社長 佐竹 典明は、次のように述べています。「東北発の革新的技術で、一日も早く患者さんの視覚回復に貢献出来るようにアステラス製薬と開発に邁進します。開発成果が震災復興の一助になればと考えています。」

以上

- *1) 遺伝子治療：疾病の治療を目的として「遺伝子」又は「遺伝子を導入した細胞」を人の体内に投与すること。
- *2) AAV-mVChR1 (Adeno-Associated Virus-modified Volvox channelrhodopsin-1、アデノ随伴ウイルス-改変型ボルボックスチャンネルロドプシン1)：改変型 VChR1 遺伝子を搭載したアデノ随伴ウイルスベクター^{*4)}のこと。
- *3) チャンネルロドプシン：光刺激を受けることにより活性化され、イオンの流入出を行うタンパク質。
- *4) アデノ随伴ウイルスベクター：一本鎖 DNA を含む小型の非病原性ウイルスで、遺伝子治療において治療遺伝子を生体内に発現させるための運び屋（ベクター）としてしばしば使用される。

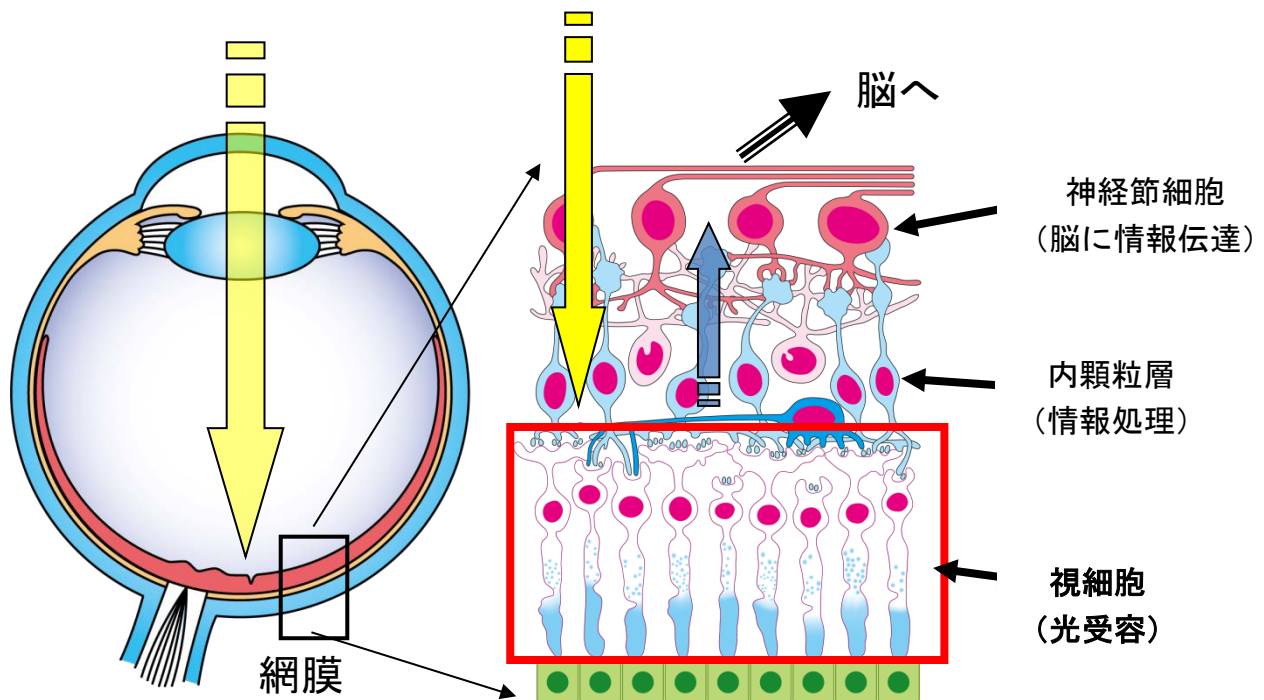
アステラス製薬について

アステラス製薬株式会社 (<http://www.astellas.com/jp/>) は、東京に本社を置き、「先端・信頼の医薬で、世界の人々の健康に貢献する」ことを経営理念に掲げる製薬企業です。既存の重点疾患領域である泌尿器、がん、免疫科学、腎疾患、神経科学に加えて、新たな疾患領域への参入や新技術・新治療手段を活用した創薬研究にも取り組んでいます。さらには各種医療・ヘルスケア事業との融合による新たな価値創出にも挑戦しています。アステラス製薬は、変化する医療の最先端に立ち、科学の進歩を患者さんの価値に変えていきます。

クリノについて

クリノ株式会社は、文部科学省のスーパーCOE プログラムのひとつとして 2003 年に発足し 2008 年 3 月に終了した東北大学の「先進医工学研究機構」=TUBERO の研究成果を基礎として「クリニカルイノベーション」により少子高齢化社会へ貢献することを企業理念として、革新的シーズの事業化活動を行っています。

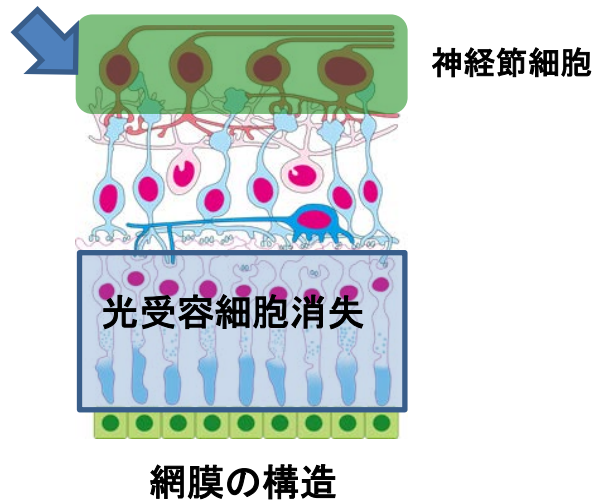
お問い合わせ先	
アステラス製薬株式会社 広報部 TEL:03-3244-3201 FAX:03-5201-7473	クリノ株式会社 管理部 TEL/FAX:022-721-5633



網膜の光受容機構

眼球に入った映像（光）は、網膜の後方に位置する光受容細胞（視細胞）で捉えられます。暗状態で視細胞は神経伝達物質を放出していますが、光を受け取ると神経伝達物質の放出が減少します。この神経伝達物質の増減を内顆粒層に存在する神経細胞が感知し、神経節細胞へとシグナルを伝達します。神経節細胞は、それらのシグナルを脳に伝え、脳では視覚イメージが構築されます。視細胞が何らかの原因で障害、消失すると、光を受け取ることができなくなり、網膜のその他の神経細胞が正常に機能したとしても失明に至ります。

mVChR1 遺伝子



治療イメージ図

AAV-mVChR1 を眼球に投与することによって、mVChR1 遺伝子が眼と脳を繋ぐ神経節細胞に運ばれ、mVChR1 の発現により神経節細胞は光を受容できるようになり、生来の光受容細胞が消失していても光を感知できるようになると期待されます。