

## アステラス製薬と Dyno Therapeutics 社 人工知能を活用した遺伝子治療用 AAV ベクターの 共同研究・開発に関する提携契約を締結

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長 CEO:安川 健司、以下「アステラス製薬」)は、Dyno Therapeutics, Inc. (President and CEO: Eric Kelsic, Ph.D.、以下「Dyno 社」)と、同社の CapsidMap™プラットフォームを活用した、骨格筋および心筋を対象とした次世代の遺伝子治療用アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターの共同研究・開発に関する提携契約を、11月23日に締結しました。

Dyno 社の CapsidMap™プラットフォームは、*in vivo* の実験データと機械学習を応用した革新的なアプローチであり、細胞送達に関わる AAV の外殻タンパク質(カプシド)を新たに設計し、臓器指向性と免疫回避特性を最適化するとともに、搭載可能な遺伝子の容量と製造効率を向上させます。従来のアプローチとは異なり、様々な臓器に送達するためのカプシドの最適化を同時に行えるため、多くの疾患に対してより効果の高い全身的な治療を可能にします。

アステラス製薬は、2020年の Audentes Therapeutics, Inc.の買収<sup>\*1</sup>を経て、遺伝子治療における Center of Excellence として Astellas Gene Therapies を設置<sup>\*2</sup>し、世界的に有名なパートナー企業とともに、人生を変える可能性のある遺伝子治療薬のポートフォリオ構築に取り組んでいます。今回の提携は、アステラス製薬の世界をリードする AAV を基盤としたパイプラインと Dyno 社の人工知能(AI)を活用した AAV ベクターの設計能力を融合させ、遺伝子治療薬の開発を加速させるものです。

アステラス製薬の代表取締役副社長 経営戦略・財務担当 兼 戦略実装担当 岡村直樹は、「アステラス製薬では、遺伝子治療の Center of Excellence である Astellas Gene Therapies が中心となって、現在、有効な治療法がない遺伝性疾患を持つ患者さんのために、革新的な治療法の開発を目指しており、特に、AAVを用いて重篤な疾患の治療薬の開発に注力しています。今回の提携を通じて、私たちは、患者さんに変革をもたらす価値を提供するために、最先端の技術を活用した新たなアプローチに注力していきます」と述べています。

Dyno 社の CEO であり共同創設者である Eric Kelsic, Ph.D.は、「遺伝子治療の開発で世界をリードするアステラス製薬と提携できることを大変嬉しく思います。Dyno 社とアステラス製薬は、それぞれ独自の強みを持ち寄り、アンメットメディカルニーズの高い疾患を持つ患者さんのための新しい治療法を生み出すことができるようになります。この共同研究では、当社が CapsidMap™を使用して社内外で学習したベクターエンジニアリングプログラムの全てを応用するもので、複数の臓器および疾患固有の状況に合わせた遺伝子治療用ウイルスベクターのカプシドを正確に設計できる Dyno 社のプラットフォームの適応性の高さを示していきます」と述べています。

本提携では、遺伝子治療用に機能特性を高めた新規 AAVカプシドを Dyno 社が設計し、そのカプシドを用いた遺伝子治療薬の候補品の製造、前臨床および臨床試験、並びに商業化をアステラス製薬が担います。アステラス製薬は Dyno 社に 1,800 万米ドルの契約一時金を支払い、共同研究から生み出されるカプシドを用いた製品に対して、前臨床および臨床開発、商業化の進捗に応じたマイルストーンならびにロイヤリティを支払います。Dyno 社に支払うマイルストーンおよびロイヤリティの総額は、1 製品あたり 2.35 億米ドル以上、総額で 16 億米ドル以上となる可能性があります。

なお、本件によるアステラス製薬の通期(2022 年 3 月期)連結業績への影響は軽微です。

以上

\*1: プレスリリース「米国 Audentes 社株式に対する公開買付けの結果および買収完了に伴う子会社の異動に関するお知らせ」<https://www.astellas.com/jp/ja/news/21996>

\*2: プレスリリース「遺伝子治療の Center of Excellence として「Astellas Gene Therapies」を設置」<https://www.astellas.com/jp/ja/news/16801>

#### **CapsidMap™について**

Dyno 社の CapsidMap プラットフォームは、アデノ随伴ウイルス(AAV)ベクターの細胞指向性を有するタンパク質の殻であるカプシドを最適化することで、現在実用化されている、あるいは開発中の遺伝子治療薬の課題を克服します。現在の遺伝子治療は、主に少数の天然由来のカプシドを使用していますが、標的送達の効率、宿主の免疫反応、搭載可能な遺伝子の容量、製造効率などの課題があります。CapsidMap は、2 つの段階で機能します。まず、次世代シーケンシングにより非常に高い効率でカプシドの特性を測定します。次に、膨大な *in vivo* データをもとに、機械学習を活用した高度な検索アルゴリズムを適用して、改良されたカプシド配列を生成します。Dyno 社の包括的なカプシド配列マップと AI を活用したツールにより、製造効率やより幅広い疾患への適用などの特性が最適化された AAV 遺伝子治療法の設計が加速されます。

### **Dyno Therapeutics について**

Dyno 社は、人工知能(AI)と定量的な *in vivo* 実験を遺伝子治療に取り入れたパイオニアです。同社が独自に開発した CapsidMap™プラットフォームは、生体内での遺伝子導入において現行のアプローチを大幅に上回るアデノ随伴ウイルス(AAV)カプシドベクターを迅速に発見し、体系的に最適化することで、遺伝子治療が適用可能な疾患の範囲を拡大できます。Dyno 社は、バイオテクノロジー分野の起業家と、遺伝子治療や機械学習の分野をリードする科学者によって 2018 年に設立されました。同社は、マサチューセッツ州ケンブリッジに所在しています。Dyno 社の詳細については [www.dynotx.com](http://www.dynotx.com) をご覧ください。

### **アステラス製薬株式会社について**

アステラス製薬は、世界 70 カ国以上で事業活動を展開している製薬企業です。最先端のバイオロジーやモダリティ/テクノロジーの組み合わせを駆使し、アンメットメディカルニーズの高い疾患に対する革新的な医薬品の創出に取り組んでいます(Focus Area アプローチ)。さらに、医療用医薬品(Rx)事業で培った強みをベースに、最先端の医療技術と異分野のパートナーの技術を融合した製品やサービス(Rx+®)の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。アステラス製薬の詳細については、(<https://www.astellas.com/jp/>)をご覧ください。

### **Astellas Gene Therapies について**

アステラス製薬は、2021 年 4 月 1 日付で子会社の Audentes Therapeutics, Inc.(米国カリフォルニア州)を社内に統合し、Astellas Gene Therapies を設置し、遺伝子治療の Center of Excellence と位置付けました。最先端の科学技術と業界をリードする製造のケイパビリティを有し、主に、遺伝子置換、エクソンスキッピング、RNA ノックダウンの 3 つの作用機序を対象に取り組みを進めています。サンフランシスコ(米国カリフォルニア州)を拠点とし、サウスサンフランシスコ(米国カリフォルニア州)およびサンフォード(米国ノースカロライナ州)に製造および研究施設を設けています。

### **注意事項**

このプレスリリースに記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述およびその他の過去の事実ではない記述は、アステラス製薬の業績等に関する将来の見通しです。これらの記述は経営陣の現在入手可能な情報に基づく見積りや想定によるものであり、既知および未知のリスクと不確実な要素を含んでいます。さまざまな要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、(i) 医薬品市場における事業環境の変化および関係法規制の改正、(ii) 為替レートの変動、(iii) 新製品発売の遅延、(iv) 新製品および既存品の販売活動において期待した成果を得られない可能性、(v) 競争力のある新薬を継続的に生み出すことができない可能性、(vi) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。また、このプレスリリースに含まれている医薬品(開発中のものを含む)に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

---

### **お問い合わせ先:**

アステラス製薬株式会社  
コーポレート・アドボカシー&リレーション部  
TEL: 03-3244-3201