

## アステラス製薬と Taysha 社 AAV 遺伝子治療プログラムに関する戦略的提携

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、Taysha Gene Therapies, Inc.(本社:米国テキサス州、CEO: RA Session II、以下「Taysha 社」)と、アデノ随伴ウイルス(AAV)遺伝子治療プログラムに関する戦略的提携に関する契約を締結しました。

本契約に基づき、アステラス製薬は、Taysha 社の発行済普通株式 15%に加え、2つの臨床段階のプログラム(TSHA-102、TSHA-120)の独占的なライセンスに関する独占的オプション権および Taysha 社の経営権の変更に関連する特定の権利を、総額 5,000 万米ドルで取得します。

オプション権が行使された場合には、アステラス製薬の遺伝子治療領域におけるグローバルな研究開発および製造、商業化に関するケイパビリティを、Taysha 社の中枢神経系の先進的な AAV 遺伝子治療プログラムに適用し、深刻なアンメットメディカルニーズを有するレット症候群および巨大軸索性ニューロパチーを抱える患者さんの新規治療選択肢の開発を促進することが期待されます。

Taysha 社は、単一の遺伝子の変異が関与する中枢神経系疾患領域において、髄腔内に投与する AAV 遺伝子治療の開発に取り組んでいます。この一環として、Taysha 社はレット症候群の治療薬として開発中の最初で唯一の遺伝子治療薬である TSHA-102 や、巨大軸索性ニューロパチーの治療薬として第 I/II 相で開発されている TSHA-120 などの、有望なパイプラインを保有しています。

アステラス製薬は、2020年1月の Audentes 社(現 Astellas Gene Therapies/米国カリフォルニア州)買収をはじめ、本年6月には米国ノースカロライナ州に商用生産までカバーする製造施設をオープンするなど、遺伝子治療薬を患者さんに届けるためのケイパビリティを構築してきました。

アステラス製薬の代表取締役副社長 経営戦略担当の岡村直樹は、「アステラス製薬は、遺伝子治療を研究開発戦略上の Primary Focus<sup>\*1</sup> の一つに位置づけており、重篤な遺伝

子疾患を抱え、治療法の限られている患者さんに、革新的な治療選択肢を届けることを目指しています。Taysha 社は、中枢神経系遺伝子治療の領域を牽引する企業です。今回の戦略的提携により、アステラス製薬の遺伝子治療に関するケイパビリティを拡大し、アンメットメディカルニーズの高い遺伝子疾患と共に生きる、より多くの患者さんの選択肢をさらに広げることができるものと期待しています」と述べています。

Taysha 社の CEO である RA Session II は、「グローバルな研究開発、製造、販売能力を有する一流のバイオ医薬品企業であるアステラス製薬と、本提携を結ぶことができ、大変嬉しく思っています。本提携は、Taysha 社の技術基盤の可能性をさらに実証するだけでなく、Taysha 社の 2 つのリードプログラムの治療や市場に関する機会を拡張するものであると確信しています」と述べています。

アステラス製薬と Taysha 社の戦略的連携をさらに進めるため、株式投資に関連して、アステラス製薬は Taysha 社の取締役会にオブザーバーとして参加し、Taysha 社が TSHA-120 および TSHA-102 を進める際にアステラス製薬の遺伝子治療の開発および商業化に関する専門性を活用することができるようにします。

なお、本件によるアステラス製薬の通期(2023 年 3 月期)連結業績への影響は軽微です。

以上

\*1: アステラスは研究開発の戦略として「Focus Area アプローチ」をとっています。詳細は (<https://www.astellas.com/jp/science/focus-area-approach>) をご覧ください。

#### **TSHA-102 について**

TSHA-102 は、レット症候群の治療のために開発中の、髄腔内に投与する自己相補性 AAV9 遺伝子置換療法です。TSHA-102 には、導入遺伝子の過剰発現に伴う毒性を防ぐように設計された miRNA-Responsive Auto-Regulatory Element(miRARE)技術プラットフォームが適用されています。TSHA-102 は、米国食品医薬品局(FDA)から希少小児疾患治療薬および希少疾病用医薬品の指定を受け、欧州委員会から希少疾病用医薬品の指定を受けています。

#### **レット症候群について**

レット症候群は、脳内のニューロンおよびシナプス機能に不可欠な X 連鎖性 *MECP2* 遺伝子の変異によって引き起こされる重度の遺伝性神経発達障害です。主に女性に発生するレット症候群は、重度の知的障害を引き起こす遺伝的要因として世界的に最も一般的なものの一つです。患者の早期発育は正常で、症状の発症は通常生後 6~18 か月の間に始まります。レット症候群は、知的障害、言語障害、手の意図的な使用の喪失、運動能力の喪失、発作、心臓障害、および呼吸の問題につながる急速な発達退行を特徴としています。現在、この進行性疾患の根本的な原因を治療する承認された治療法はありません。

### **TSHA-120 について**

TSHA-120 は、巨大軸索性ニューロパチーの治療のために *gigaxonin* 遺伝子を送達する髄腔内に投与する AAV9 遺伝子置換療法であり、現在第 I/II 相臨床試験が進行中です。TSHA-120 は、FDA から希少小児疾患治療薬および希少疾病用医薬品の指定を受け、欧州委員会から希少疾病用医薬品の指定を受けています。

### **巨大軸索性ニューロパチー(GAN)について**

GAN はまれな遺伝性疾患で、中枢神経系と末梢神経系の両方に影響を与える進行性の神経変性疾患です。この疾患は、*gigaxonin* をコードする遺伝子の機能欠損変異によって引き起こされ、細胞骨格の重要な要素である中間径フィラメントのターンオーバーが制御不能になることで発症します。GAN を発症した 5 歳未満の子供には、不安定な歩行、頻繁な転倒、運動機能低下などの症状がみられます。現在、GAN に対する承認された治療法はなく、10 代後半から 20 代前半で患者が死亡します。

### **Taysha 社について**

Taysha Gene Therapies, Inc. (本社: 米国テキサス州、NASDAQ: TSHA) は、単一の遺伝子の変異が関与する中枢神経系疾患の根絶をミッションとしています。詳細については、[www.tayshaqtx.com](http://www.tayshaqtx.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+<sup>®</sup>) 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**

Astellas Gene Therapies は、患者さんに革新的な価値をもたらす可能性のある遺伝子治療の Center of Excellence です。当社の遺伝子治療創薬エンジンは、革新的な科学、検証済みの AAV プラットフォーム、業界を牽引する製造能力を基盤としており、眼、中枢神経系、神経筋系の希少疾患に焦点を当てています。アステラス製薬の遺伝子治療プログラムを臨床試験に向けて推進しています。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) とサンフォード (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&リレーションズ部  
TEL: 03-3244-3201