

## アステラス製薬と Mogrify 社 感音難聴の再生医療に関する共同研究契約を締結

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、Mogrify Limited(本社:英国ケンブリッジ、CEO:Darrin M. Disley、以下「Mogrify 社」)と、感音難聴の治療薬創出を目指した再生医療に関する共同研究契約を締結しました。

本共同研究では、Mogrify 社のダイレクトリプログラミング<sup>\*1</sup>に関する独自のプラットフォームを活用し、新たな蝸牛有毛細胞<sup>\*2</sup>を生み出すため、感音難聴の細胞分化に関わる転写因子<sup>\*3</sup>の新規組み合わせを同定することを目的としています。本共同研究において、Mogrify 社は、自社のプラットフォームを活用して、化合物のスクリーニングおよび検証を行い、アステラス製薬は研究費を負担するとともに、アデノ随伴ウイルス(AAV)を用いた遺伝子治療に関する専門性と感音難聴における前臨床ならびにトランスレーショナル・リサーチの基盤技術を活用して、開発候補品の同定を目指します。

全世界で推定 15 億 7,000 万人が難聴に罹患しており<sup>1</sup>、米国のデータによると、難聴者の 10%以上が少なくとも片耳で高度から重度の感音難聴を発症しているとされます<sup>2</sup>。高度から重度の感音難聴は生活の質を著しく低下させますが、現在使用可能な治療薬はなく、高いアンメットメディカルニーズが存在します。

Mogrify 社の Chief Scientific Officer の Louise Modis は、「Mogrify 社のヒトの遺伝子調節ネットワークに着目したアプローチは、優れた因子の組み合わせを同定することに適しており、目的とする耳の細胞へ直接分化させる効率が向上します。アステラス製薬の遺伝子治療および感音難聴研究におけるケイパビリティと組み合わせることにより、新規治療法の開発につながります」と述べています。

アステラス製薬の Gene Therapy Research & Technical Operations の Senior Vice President である Mathew Pletcher は、「今回の共同研究は、アステラス製薬の AAV をベースとした遺伝子治療に関する専門性と、『聴覚再生』『ダイレクトリプログラミング(分化転換)』の研究領域で培ってきた耳科学におけるケイパビリティを組み合わせた取り組みで

す。共同研究によって、アンメットメディカルニーズが高い感音難聴の治療薬創出につながれることに期待しています」と述べています。

本件によるアステラス製薬の業績への影響は、通期(2023年3月期)連結業績予想に織り込み済みです。

以上

\*1 ダイレクトリプログラミング: 多能性幹細胞を介さずに体細胞から目的とする分化細胞に直接誘導させること。

\*2 蝸牛有毛細胞: 内耳にあり、音刺激を電気信号に変換し、音として知覚している。

\*3 転写因子: DNA に特異的に結合するタンパク質で、遺伝子の発現を調節する。標的の遺伝子に応じて多様な種類や組み合わせがある。

#### **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**

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。

#### **Mogrify Limited について**

Mogrify 社は、英国・ケンブリッジを拠点とし、ビッグデータを用いてダイレクトリプログラミングと細胞固有の性質維持を目的とした独自の技術プラットフォームを有しています。Mogrify 社の詳細については、(<https://mogrify.co.uk/>)をご覧ください。

## 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

## References

1. *Hearing Loss Collaborators. Hearing loss prevalence and years lived with disability, 1990-2019: findings from the Global Burden of Disease Study 2019.* Lancet. 2021 Mar 13;397(10278):996-1009.
2. *Goman AM, Lin FR. Prevalence of Hearing Loss by Severity in the United States.* Am J Public Health. (2016);106(10):1820-1822.