

Press Release

2023年6月8日

アステラス製薬と Kate Therapeutics 社 次世代遺伝子治療プログラム KT430 の 独占的ライセンス契約を締結

-X 連鎖性ミオチューブラーミオパチーを対象とした前臨床段階の次世代遺伝子治療-

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長 CEO:岡村 直樹、以下「アステラス製薬」)は、Kate Therapeutics(本社:カリフォルニア州、CEO:Kevin Forrest、以下「Kate 社」)と、全世界における KT430 の開発・製造・商業化に関する独占的ライセンス契約を締結しました。

KT430 は、新規の MyoAAV カプシドを介して正常に機能する MTM1 遺伝子を送達する前臨床段階の次世代遺伝子治療プログラムです。重度の筋力低下と呼吸障害により若くして死に至る重篤な神経筋疾患である X 連鎖性ミオチューブラーミオパチー (XLMTM)の治療を目的としています。

本契約に基づき、アステラス製薬は Kate 社に契約一時金を支払います。さらに、Kate 社は、開発および商業化の進捗に応じたマイルストーン支払いとロイヤルティーを受け取る可能性があります。

アステラス製薬の経営戦略担当 CStO(Chief Strategy Officer)の Adam Pearson は、「Kate 社の独自のサイエンスアプローチと、アステラス製薬の XLMTM を対象とした遺伝子治療プログラム AT132 の開発で培った豊富な経験が組み合わせることで、KT430 の開発が大きく前進することを期待します。アステラスのパイプラインに KT430 が加わることで、アステラス製薬が今まで以上に XLMTM に苦しむ患者さんに貢献できると確信しています」と述べています。

Kate 社の CEO である Kevin Forrest, Ph.D は、「アステラス製薬が KT430 の全世界における権利を取得したことは、XLMTM の新しい治療法を心待ちにしている患者さんご家族にも意義深い一歩であると確信しています。当社は、組織特異的な遺伝子送達や遺伝子調節など、現在の遺伝子治療が抱えている課題に直接対処する新規技術プラットフォームを活用しており、本アプローチは遺伝子治療の有効性と安全性を改善することが期待されています。当社は、XLMTM やその他の遺伝性疾患のような重

篤な疾患に苦しむ患者さんに画期的な治療法を提供できると期待しています」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(2024年 3 月期)連結業績予想に織り込み済みです。

以上

XLMTM について

XLMTM は、重度の筋力低下と呼吸障害により若くして死に至る、重篤で致死的な神経筋疾患です。生後 18 カ月時点の推定生存率は 50%とされており、乳児期を過ぎて生存した患者さんの場合、10 歳までの推定生存率は 25%とされています。XLMTM は、骨格筋細胞の正常な発達、成熟および機能に必要なタンパク質であるミオチューブラリンの欠損または機能不全をもたらす MTM1 遺伝子変異によって引き起こされ、およそ 40,000~50,000 人の新生児男子に 1 人の割合で発症する疾患です。

XLMTM は度重なる入院および外科的介入などにより、患者さんやご家族および医療システムに大きな負担がかかります。XLMTM 患者さんの 80%以上が人工呼吸器による補助を必要とし、多くの場合、栄養補給のための胃瘻カテーテルを必要とします。また、ほとんどの患者さんにおいて、正常な運動発達マイルストンの遅延や未達がみられます。現在治療法はなく、補助人工呼吸器や栄養チューブなどの支持療法の選択肢しかありません。

Kate Therapeutics について

カリフォルニア州サンディエゴに本社を置く Kate Therapeutics は、遺伝性筋疾患の治療を目的として、患者を中心とした AAV 遺伝子治療を開発しているバイオテクノロジー企業です。組織特異的な送達や遺伝子調節など、現在の遺伝子治療の抱えている課題に直接対処する新規技術プラットフォームを活用しており、そのアプローチは遺伝子治療の有効性と安全性を改善し、現在の技術では薬にすることが難しい、より広範な一連のターゲットを創薬候補として追求できる可能性があります。Kate 社の詳細については、<https://www.katetherapeutics.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

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)、サンフォード(米国ノースカロライナ州)と筑波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
広報
TEL: 03-3244-3201