

2023年7月11日

**アステラス製薬と 4D Molecular Therapeutics(4DMT)社
眼科領域における遺伝子治療に
4DMT 社独自のアデノ随伴ウイルスベクターR100 を使用する
ライセンス契約を締結**

アステラス製薬株式会社(本社:東京、代表取締役社長 CEO:岡村 直樹、以下「アステラス製薬」と 4D Molecular Therapeutics, Inc.(本社:米国カリフォルニア州、CEO: David Kirn、以下「4DMT 社」)は、アステラス製薬が 4DMT 社独自の高い網膜指向性を持つアデノ随伴ウイルスベクター(AAV)R100^{*1} を眼科希少遺伝性疾患における 1 つの創薬ターゲットに使用するライセンス契約を締結しました。アステラス製薬がオプション権を行使すれば、さらに最大 2 つの創薬ターゲットについて R100 ベクターを使用できます。

4DMT 社は、臨床段階の遺伝子治療プログラムを有するバイオ医薬品企業です。R100 ベクターは硝子体内への投与用に、4DMT 社により開発された AAV であり、網膜に存在する内境界膜バリアの透過、および網膜細胞へ効率的に遺伝子を導入する能力を備えています。4DMT 社が有する臨床段階にある 3 つの臨床プログラムは、滲出型加齢黄斑変性症および糖尿病性黄斑浮腫を対象とした 4D-150 を含め、すべて R100 ベクターを使用しています。

本契約により、4DMT 社は、独自の技術である R100 ベクターの情報をアステラス製薬に提供します。アステラス製薬は、R100 ベクターを眼科希少遺伝性疾患における自社独自の遺伝子パイロード^{*2} と組み合わせた研究、および研究から創出されたプログラムの開発、製造、商業化を行います。アステラス製薬は契約一時金として 2,000 万米ドルを支払います。さらに、最初のターゲットに対して近い将来に支払う開発マイルストーン 1,500 万米ドルを含むプログラムの進捗に応じた最大 9 億 4,250 万米ドルのマイルストーンに加えて、一桁台半ばから二桁台前半%の売上高に応じたロイヤリティを 4DMT 社に支払う可能性があります。

今回の契約について、4DMT 社の共同創業者 兼 CEO の David Kirn は、「AAV 遺伝子治療のリーダーであるアステラス製薬とライセンス契約を締結できたことを大変嬉しく

思います。両社の技術とケイパビリティを組み合わせることで、低用量の硝子体内投与で遺伝子ペイロードを目的部位へ送達する R100 ベクター技術を検証し、網膜疾患治療に新たな選択肢を提供することを目指します。4DMT 社は、滲出型加齢黄斑変性症や希少な眼科疾患に苦しむ 70 名以上の患者さんに対し、R100 技術を使用した臨床プログラムを投与しています。本提携は、新しい硝子体内投与治療プログラムの設計と開発を効率化する Therapeutic Vector Evolution プラットフォームの高い汎用性を継続的に実証するものです。なお、市場性の高い非遺伝性眼科疾患に関する権利は 4DMT 社が保持します」と述べています。

また、アステラス製薬の経営戦略担当 CStO (Chief Strategy Officer) の Adam Pearson は、「アステラス製薬は研究開発戦略である Focus Area アプローチの中で、特に注力している Primary Focus の一つに『再生と視力の維持回復』があります。遺伝子治療技術の最先端に立ち続けることは本 Primary Focus 戦略の鍵となります。今回の提携により、両社の最先端の技術が相乗効果を発揮し、失明リスクの高い眼科疾患を抱える患者さんに対する新しい治療法の開発につながると確信しています」と述べています。

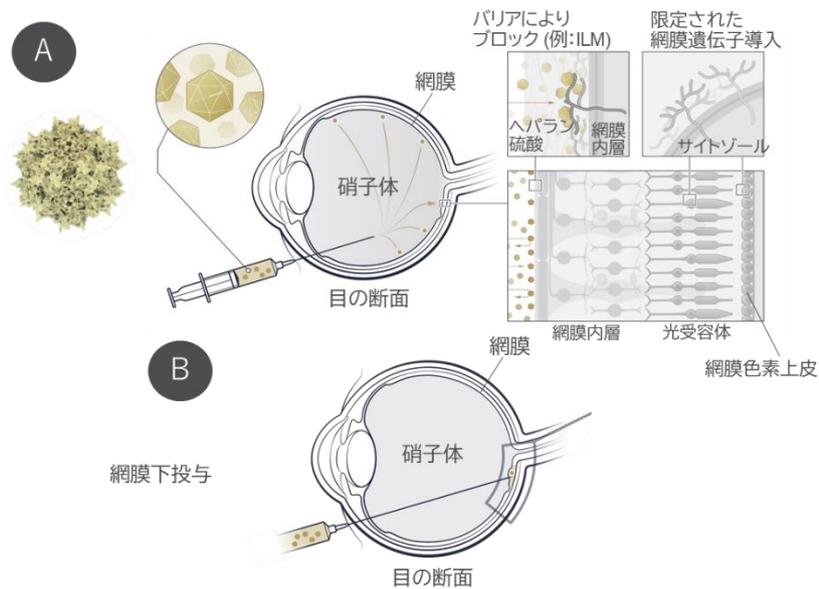
本件によるアステラス製薬の業績への影響は、通期(2024 年 3 月期)連結業績予想に織り込み済みです。

以上

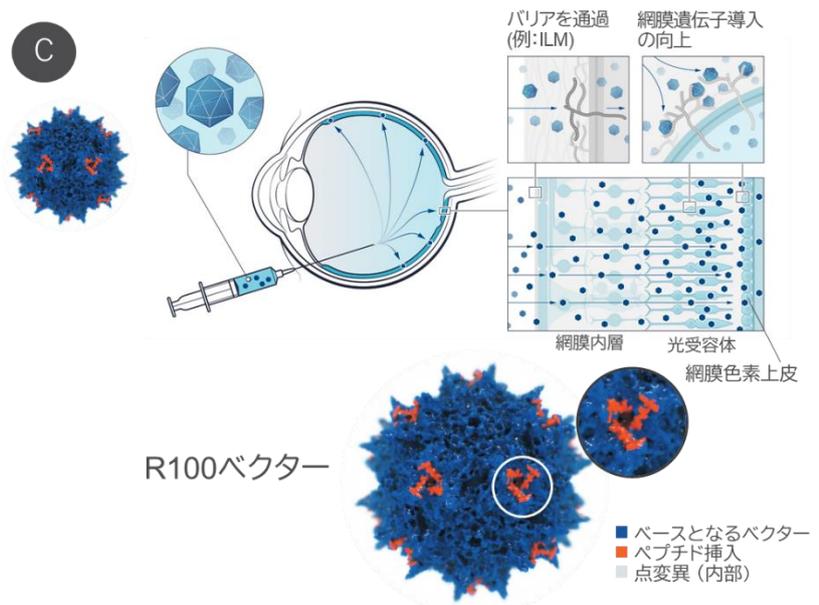
***1 R100 の構造とバクテープロファイル～網膜疾患に対する硝子体内投与法**

- A) 内境界膜(ILM)バリアのために、野生型バクテアが硝子体から網膜に効率的に到達することは困難です
- B) 野生型バクテアを利用した遺伝子治療プログラムにおいては、硝子体手術を伴う網膜下投与が多くなされています
- C) R100 は、硝子体内投与でも、内境界膜バリアを透過、および網膜細胞へ効率的に遺伝子を導入できる能力を備えています

野生型バクテア



R100



*2 パイロード：治療効果のあるタンパク質などの転写翻訳産物を発現させるための DNA 配列

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。

4D Molecular Therapeutics, Inc.について

4DMT 社は、遺伝子治療プログラムに指向性進化法を利用する、臨床段階の遺伝子治療プログラムを有するバイオ医薬品企業です。4DMT 社は、ノーベル賞受賞技術である指向性進化法と約 10 億個の合成 AAV キャプシド由来の配列を組み合わせた独自のプラットフォーム「Therapeutic Vector Evolution」を用いて、遺伝子治療の可能性を最大化することを目指し、ターゲットへの指向性を高めた進化型ベクターを開発しています。4DMT 社は、希少疾患と市場規模の大きい疾患を対象とした 3 つの治療領域(眼科、循環器科(ファブリー病を含む)、呼吸器科)における 5 つの臨床プログラムに経営資源を投下しています。4DMT 社のベクターは、臨床的に一般的で、忍容性が高く、低侵襲な投与経路により比較的低用量で送達され、ターゲット組織の疾患細胞に効率的に導入され、免疫原性を低減し、必要に応じて患者さんが獲得済みの抗体に対する抵抗性を有することを目的として開発されました。

注意事項(アステラス製薬)

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