

## Press Release

2018年9月14日

### 遺伝子治療研究所とアステラス製薬 孤発性 ALS を対象とした遺伝子治療プログラムに関する オプション契約締結

株式会社遺伝子治療研究所（本社：神奈川県川崎市、代表取締役：浅井 克仁、以下「GTRI」）とアステラス製薬株式会社（本社：東京中央区、代表取締役社長 CEO：安川 健司、以下「アステラス製薬」）は、孤発性筋萎縮性側索硬化症\*1（以下「孤発性 Amyotrophic Lateral Sclerosis: 孤発性 ALS」）を対象とした遺伝子治療プログラム GT0001X の開発および商業化に関する全世界における独占交渉のオプション契約を締結しましたので、お知らせします。

筋萎縮性側索硬化症 (Amyotrophic Lateral Sclerosis: ALS) は運動ニューロンを選択的に障害し、手足、のど、舌の筋肉や、呼吸に必要な筋肉が次第に萎縮し、筋力が低下していく神経変性疾患です。日本、アメリカ、EU5（イギリス、ドイツ、フランス、スペイン、イタリア）での患者数は約 55,000 人とされており、60 歳以降の有病率をみると、人口 10 万人あたり 20~30 人にも及びます。原因が不明で、かつ病勢の進行を止める有効な治療法が確立されておらず、日本では特定疾病の一つとして指定されています。ALS 全体の 9 割以上を占める孤発性 ALS では、RNA 編集酵素である ADAR2\*2 (adenosine deaminase acting on RNA 2) の活性低下が発症原因の仮説の 1 つとして報告されています。

GT0001X は、改変型アデノ随伴ウイルス（改変型 Adeno-Associated Virus: 改変型 AAV）ベクターに ADAR2 遺伝子を組み込んだ遺伝子治療用ベクターです。脊髄運動神経の ADAR2 を除去した病態モデルマウスにおいて、ADAR2 遺伝子を組み込んだ改変型 AAV ベクターの投与により神経変性と運動機能障害の抑制が報告されています\*3。現在、GTRI が孤発性 ALS を対象として、本ベクターの開発を進めており、前臨床段階にあります。今後、臨床での有効性と安全性を確認していきます。

GTRI 取締役の村松 慎一は、「AAV ベクターを利用した遺伝子治療が、世界各地で本格化の時代を迎えようとしています。この遺伝子治療は安全性が高く、特に神経変性疾患や先天性代謝疾患で効果が期待できるため、当社でも多くの適応症に対して開発を進めています。

まずは根本治療の無い孤発性 ALS を対象とした治験を実施し、難病に苦しむ患者の皆様のためにも開発を加速させていきたいと思っております」と述べています。

アステラス製薬の経営戦略担当役員である岡村 直樹は、「本提携は、最先端の科学、技術を積極的に取り込み、患者さんの価値に変えていくというアステラス製薬の戦略に基づく取り組みです。私たちは ALS と闘う患者さんに 1 日でも早く画期的な治療薬を届けたいと考えております。今後もアステラス製薬は、最先端の科学を有する外部パートナーと連携しながら、アンメットメディカルニーズの高い疾患領域における新薬の創出に注力していきます」と述べています。

以上

\*1 孤発性 ALS: ALS には、血縁者に発病者がいる家族性 ALS と、血縁者に発病者がいない孤発性 ALS があり、家族性 ALS は ALS 患者の 1 割程度で、残る 9 割は孤発性 ALS と言われている。

\*2 ADAR2 (Adenosine deaminases acting on RNA2): 二本鎖 RNA と結合し、アデノシンをイノシンへと変換する RNA 編集酵素のこと。

\*3: EMBO Mol Med. 2013, Nov, vol. 5, no.11, p. 1710-1719.

遺伝子治療研究所について

株式会社遺伝子治療研究所は、神奈川県川崎市に本社を置き、AAV ベクターを利用した遺伝子治療の実用化を目指すバイオベンチャーです。会社の詳細、開発品目等は (<http://www.genetherapy-ri.com/>) をご覧ください。

アステラス製薬について

アステラス製薬株式会社は、東京に本社を置き、「先端・信頼の医薬で、世界の人々の健康に貢献する」ことを経営理念に掲げる製薬企業です。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。

---

お問い合わせ先：

株式会社遺伝子治療研究所  
人事総務部

TEL: 044-589-5900 FAX: 044-589-5901

アステラス製薬株式会社  
広報部

TEL: 03-3244-3201 FAX: 03-5201-7473