

この資料は、米国アルナイラム社が2020年4月2日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約し、報道関係各位の参考資料として提供するものです。この資料の正式な言語は英語であり、内容及び解釈については原文(英文)が優先されます。英語版プレスリリースは <https://www.alnylam.com/> をご参照ください。

報道関係各位

2020年4月17日

Vir社とアルナイラム社 COVID-19の宿主因子を標的とする RNAi治療薬研究のために共同開発提携を拡大

- SARS-CoV-2感染症の3つの宿主因子(ACE2およびTMPRSS2を含む)を標的とするRNAi治療薬を評価するための共同研究-
- アルナイラム社が創薬したコロナウイルスのRNAi治療薬候補の開発をVir社が主導、アルナイラム社は50:50の損益均等配分権を保持-

カリフォルニア州サンフランシスコおよびマサチューセッツ州ケンブリッジ[2020年4月2日]- Vir Biotechnology社(Nasdaq: VIR)(以下、Vir社)およびAlnylam Pharmaceuticals社(Nasdaq: ALNY)(以下、アルナイラム社)は、本日、新型コロナウイルス感染症(COVID-19)の原因ウイルスであるSARS-CoV-2を含む感染症に対するRNAi治療薬の開発と実用化に向けて、両社の既存の複数標的開発の広範な提携関係を拡大すると発表しました。この提携拡大には、SARS-CoV-2の宿主因子を中心に、最大3つの追加標的が含まれます。追加標的は、いずれもウイルス侵入に不可欠であると考えられるACE2およびTMPRSS2を含み、もう一つの宿主標的はVir社の機能ゲノミクス研究から得られると見込んでいます。

提携合意の改定に伴い、両社は、アルナイラム社のsiRNA(低分子干渉RNA)新規コンジュゲートの最新の肺への薬剤送達技術を、Vir社の感染症の専門性と能力とともに活用し、最大3つの宿主因子を標的とするSARS-CoV-2および潜在的には他のコロナウイルスの治療薬候補の追加開発を前進させます。すでに決定している標的は、アンジオテンシン変換酵素2(ACE2)およびII型膜貫通型セリンプロテアーゼ(TMPRSS2)です。ACE2はSARS-CoV-2や他のコロナウイルスのウイルス侵入受容体であることが知られており、TMPRSS2はSARS-CoV-2のスパイクタンパク質を切断して細胞付着を促進すると考えられています。3つ目の標的は、Vir社が現在進行中の、コロナウイルス感染に関係する新規宿主因子、およびsiRNA、mABs、または低分子が標的としうる新規宿主因子を特定する機能ゲノミクス研究から得られると見込んでいます。

コロナウイルス感染症治療のためのRNAi治療薬研究を前進させる当初の共同開発の一環として、アルナイラム社は、SARS-CoV-2ゲノムの高度に保存された領域を標的とする350以上のsiRNAをデザイン・合成してきました。最近、複数の有力なsiRNAがアルナイラム社の研究者によって特定され、その中から開発候補薬を選定するために、現在Vir社の研究者がその抗ウイルス作用の評価を進めています。開発候補薬の選定にあたっては、Vir社が開発を主導し、アルナイラム社と緊密に連携しながら、迅速な臨床試験の実現に必要なデータの取得に注力しています。

Vir 社の CEO である George Scangos 博士 (Ph.D.) は、「Vir 社は、COVID-19 のパンデミックと戦うため、複数のプラットフォームおよび複数の治療戦略を積極的に推進しています。アルナイラム社との提携では、すでに SARS-CoV-2 を標的とする複数の有望な siRNA を特定していますので、今後も大きな期待を抱いていますし、この提携の研究範囲を拡大して、ヒトの宿主因子を標的とする siRNA の抗ウイルス作用を共同評価できることを喜ばしく思います。アルナイラム社とは、この研究を最優先して、可能な限り迅速に進めるべきという共通の危機意識があります」と述べています。

アルナイラム社の CEO である John Maraganore 博士 (Ph.D.) は、「バイオ医薬品業界は、COVID-19 のパンデミックに対応するため、考えうる限りの治療法および戦略を総動員して取り組む必要があります。その意味で、SARS-CoV-2 ゲノムを直接標的とする研究に加え、ウイルスの感染と複製に不可欠な宿主因子を標的とする展望に大いに期待しています。公衆衛生上のニーズが非常に高まっている今、私たちは Vir 社と協力して研究を拡大し、促進するために、COVID-19 および潜在的な将来のコロナウイルス感染症に対する RNAi 治療薬の研究開発を最優先として、早急に実施していきます」と述べています。

改定した提携およびライセンス合意では、Vir 社は選定された開発候補薬の開発の主導に加え、共同開発で得られ、薬事承認を取得した製品の実用化も主導します。臨床のプルーフ・オブ・コンセプト (POC) が認められた段階で、アルナイラム社は抗コロナウイルス薬の開発と実用化に関わる損益の均等配分のオプションを有します。あるいは、抗コロナウイルス薬開発について合意した協業の結果得られる製品の純売上高に対して、開発と実用化のマイルストーンとロイヤルティを受け取る選択をすることも可能です。2017 年に発表した両社の既存のライセンス契約、および 2020 年 3 月に発表した同契約の改定を拡大し、今回追加した標的を含め、合計で最大 9 つの感染症標的に対する新規 siRNA の開発を目指すことになり、これには、現在第 I/II 相試験が進行中の B 型肝炎ウイルス治療薬の VIR-2218 (ALN-HBV02) を含みます。

RNAi について

RNAi (RNA interference : RNA 干渉) は、遺伝子発現抑制 (サイレンシング) という細胞内の自然なプロセスであり、現在、生物学と創薬において最も期待され急速に進歩している最先端領域の一つです。RNAi の発見は「10 年に 1 度の画期的な科学の前進」とされ、その功績に対して 2006 年にはノーベル生理学・医学賞が贈られています。RNAi 治療薬は、細胞内で生じるこの自然な生物学的プロセスを利用した新しい作用機序を持つ薬剤として誕生しました。RNAi の作用機序は、アルナイラムの RNAi 治療薬のプラットフォームである siRNA (small interfering RNA: 低分子干渉 RNA) が、疾患の原因となるタンパク質をコードするメッセンジャー RNA (mRNA) の発現を抑制 (サイレンシング) することで、そのタンパク質の産生を阻害するというものです。RNAi 治療薬は、遺伝子疾患などの治療法を変える可能性が示唆されている新たなアプローチです。

Vir Biotechnology 社について

Vir Biotechnology 社は、免疫学の知見と最先端技術を融合し、重篤な感染症の治療と予防に注力する臨床免疫学の企業です。Vir 社は自然免疫プロセスの重大な所見を活用し、免疫系を刺激、促進するようデザインされた 4 つの技術プラットフォームを構築しました。開発パイプラインには、B 型肝炎ウイルス、A 型インフルエンザ、ヒト免疫不全ウイルス、および結核を標的とする 5 つの製品候補があります。詳細については、ウェブサイト www.vir.bio をご参照ください。

Alnylam Pharmaceuticals 社について

Alnylam Pharmaceuticals 社 (Nasdaq: ALNY) は、RNAi 技術を、遺伝性希少疾患、循環器・代謝系疾患、肝感染症、および中枢神経系・眼科疾患の患者さんの治療や生活の質を改善することが期待される医薬品に応用するリーディングカンパニーです。RNAi 治療薬はノーベル賞を受賞した科学に基づいており、アンメットニーズの高い難治性疾患を臨床的に実証されたアプローチで治療します。当社は、2002 年の設立以来、RNAi 治療プラットフォームにより、科学的可能性を現実のものにするというビジョンを実現しています。当社の製品である RNAi 治療薬「オンパットロ®」(パチシラン) は、米国、EU、カナダ、日本、ブラジル、スイスにおいて承認されており、givosiran は米国および EU にお

いて承認されています。当社は、開発後期段階にある 6 つの製品候補を含む、充実したパイプラインを有しています。今後も引き続き、治療選択肢が不十分で限られている患者さんのニーズに応えるため、持続可能な RNAi 治療薬のパイプラインを持つバイオ医薬品企業を目指します。当社はマサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置きます。詳細は、弊社ウェブサイト www.alnylam.com、Twitter @Alnylam、または LinkedIn でご覧ください。

Vir 社の将来予測情報 (FLS)

本プレスリリースの将来予測情報は、1995 年の私的証券訴訟改革法の免責条項に基づいています。「可能性がある」、「予定である」、「期待される」、「計画される」、「予想される」、「確信する」、「予測される」、「意図する」、「潜在的な」、「有力な」などの用語とそれに準ずる表現（および将来のできごと、条件、または状況に言及する用語や表現）は、将来予測情報を特定する目的で使用されています。これらの将来予測情報は、Vir 社の本プレスリリースの発行日時点の予測および想定に基づきます。それぞれの将来予測情報はリスクおよび不確実性を伴い、実際の結果が将来予測情報と実質的に異なる可能性もあります。このプレスリリースに含まれる将来予測情報には、アルナイラム社との協業の拡大で得られるベネフィットの可能性、開発候補薬の特定と選択の是非、Vir 社の新規宿主因子を特定する能力、ヒトの宿主因子を標的とする siRNA の潜在的抗ウイルス効果、開発候補薬の開発と商品化の是非、および Vir 社の COVID-19 パンデミックに対応する能力についての記述が含まれます。現在の予測と実際の結果に違いが生じる原因としては、期待した非臨床および臨床試験の安全性および有効性データが得られないこと、開発候補薬の特定と選択の難しさ、コロナウイルス感染症に関係する新規宿主因子の特定の難しさ、他社や行政との連携の難しさ、生産力の不足、感染症治療薬の開発の難しさなど、多くの要因があり得ます。本プレスリリースの将来予測情報に記述または示唆した内容と実際の結果が異なる他の要因については、Vir 社の米国証券取引委員会への提出書類、特に「リスクファクター」と題した章に考察しています。Vir 社は、法によって要求される場合を除き、新しい情報を入手した場合においても、ここに記述した将来予測情報を更新する責任を負いません。

アルナイラム社の将来予測情報 (FLS)

1995 年の私的証券訴訟改革法の免責条項が適用される将来予測情報には、本プレスリリースにおけるアルナイラム社の未来の予測、計画、見通しに関する様々な記述、つまり、非臨床における最新の siRNA の肺への送達技術のヒトへの応用、COVID-19 の原因ウイルスである SARS-CoV-2 の高度に保存された領域を標的とする siRNA および COVID-19 や他のコロナウイルスのヒト宿主因子を標的とする他の siRNA の可能性、新興の公衆衛生問題・エピソードに Vir 社と協業して対応する能力、RNAi 治療薬の前進と実用化に関する「Alnylam 2020」戦略の見通しなど、RNAi 治療薬の可能性に関するアルナイラム社の見解と計画を含みますが、これに限定されるものではありません。実際の業績や将来の計画は、アルナイラム社の事業、活動、および展望に対する COVID-19 パンデミックの潜在的リスクとその結果としての遅延や中断、SARS-CoV ゲノムおよび／または SRAS-CoV-2 感染症の宿主因子を標的とする候補薬を含む新薬候補、ならびに肺への薬剤送達を含む薬剤送達法のアルナイラム社の創出・開発能力、および SARS-CoV ゲノムおよび／または SARS-CoV-2 感染症の宿主因子を標的とする候補薬を含む新薬候補の有効性と安全性を実証するアルナイラム社の能力、非臨床および臨床結果が再現されない、または他被験者や他試験で反復されず、特定の適応症またはいずれの適応症をも対象として開発を継続することが正当化されないリスク、規制当局の処置や勧告により、SARS-CoV-2 ゲノムおよび／または SARS-CoV-2 感染症の宿主因子を標的とする候補薬の臨床試験を促進する能力を含む、臨床試験のデザイン、開始、実施時期、継続および／または進行が影響を受ける、あるいは結果として非臨床および／または臨床の追加試験が必要となるリスク、新薬候補または販売薬の製造および供給の遅延、中断、または障害のリスク、知的財産の取得、維持、および保護、プラットフォーム、製品および製品候補に関する特許訴訟などの知的所有権事項、lumasiran や SARS-CoV-2 ゲノムおよび／または SARS-CoV-2 感染症の宿主因子を標的とする他の製品候補の承認取得、オンパットロと givosiran などの製品の承認の維持、ならびに薬価と保険適用の取得、販売インフラおよび米国外インフラの継続的な構築の前進、オンパットロと givosiran などの承認された製品の世界的な上市、マーケティング、および販売の成功、さらにオンパットロの 2020 年の販売目標の達成、将来的にオンパットロの適応症拡大を成功させるアルナイラム

社の能力、アルナイラム社と類似した技術を使用あるいは類似の用途に向けた製品を開発する競合の存在、予期された戦略の範囲内において企業成長と経営費を管理しつつ将来的に自立存続可能な財務プロファイルを達成し、事業活動を支援する追加資金の取得および戦略的な業務提携と新たな事業イニシアチブを確立・維持するアルナイラム社の能力、COVID-19 を含む感染症治療薬候補の開発およびこの開発で得られる感染症治療薬の実用化に関しては Vir 社、眼科および中枢神経系の製品などの特定の製品の開発、製造、流通に関してはリジェネロン社、ならびに US における givosiran の教育と販売促進に関してはアイアンウッド社を含む第三者への依存、訴訟の結果、政府調査、予期しない支出のリスク、ならびにアルナイラム社の最新の年次事業報告書で証券取引委員会 (SEC) に提出したフォーム 10-K および SEC への他の提出書類に詳述した「リスク要因」などを含み、しかしこれらに限定されない、様々な重要なリスク、不確実性、その他の要因の結果として、本プレスリリースに示した将来予測情報と大きく異なる可能性があります。また、本プレスリリースに示した将来予測情報は本日時点のアルナイラム社の見解に基づくものであり、本日以降には該当するものではありません。アルナイラム社は、将来予測情報の更新に関するいかなる責任について、法によって要求される範囲を除き、明示的に放棄します。

本プレスリリースに関する問い合わせ先:

Alnylam Japan 株式会社

TEL: 03-6629-6180

Mail: press@alnylam.com