

この資料は、米国アルナイラム社が2020年5月4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5月19日

Vir社とアルナイラム社、 COVID-19の治療のための、SARS-CoV-2を標的とする RNAi治療薬開発候補 VIR-2703(ALN-COV)を特定

- 非常に有力で広範な交差反応性を有するRNAi治療薬の開発候補を、開発プログラムの開始後わずか3カ月で選定 -
- 両社は2020年末を目処にヒトにおける臨床試験を開始する見込み -

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5月4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、SARS-CoV-2ゲノムを標的とするRNAi治療薬研究の開発候補として VIR-2703 (ALN-COV)を選定したと発表しました。両社は、近日中に、米国食品医薬品局(FDA)および他の規制当局と面会し、開発プログラムの開始から1年以内である2020年末を目処に、治験届(IND)またはINDと同様な届出の早期提出について協議する予定です。両社は、COVID-19の治療および/または予防のための吸入製剤候補としてVIR-2703の開発を推進する予定です。

今回の創薬に向け、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、RNAiを媒介する低分子干渉RNA(siRNA)を350以上合成しました。それらをバイオインフォマティクスにより*in vitro*で評価しました。Vir社がSARS-CoV-2のウイルスモデルを使って実施した*in vitro*の試験の結果、ウイルス複製を1/1,000以下まで低減した有力なsiRNAが複数特定されました。中でもVIR-2703は、SARS-CoV-2のウイルスモデルを使って感染性ビリオン(感染性を有するウイルス粒子)産生の抑制を測定する用量反応試験で、50%阻害濃度(EC50)が100ピコモル未満、EC95が1ナノモル未満であることを示しました。さらに、VIR-2703は、分析基準を満たす公的データベースから現在入手可能な4,300以上のSARS-CoV-2ゲノムの内、99.9%以上に対して反応することが予測され、2003年のSARSアウトブレイクから発生したSARS-CoVゲノムに対しても反応することが予測されています。Vir社とアルナイラム社は、VIR-2703を開発候補薬として選定し、今後も緊密に連携しながら、臨床試験の早期開始のために必要なデータの取得に取り組めます。

Vir社のCEOであるGeorge Scangos博士(Ph.D.)は、「Vir社は、業界をリードする技術を駆使してCOVID-19との闘いに取り組んでいます。アルナイラム社との充実した広範な提携により、SARS-CoV-2を標的とする開発候補薬の特定を早期に実現することができました。この候補薬を得られた今、私たちはこの取り組みを一層加速させ、年末を目処に、ヒトでの臨床試験を開始する計画を立てています。私たちの最終的な目標は、COVID-19に対する有効な治療薬を、承認取得次第、早期に世界中に届けることです」と述べました。

アルナイラム社の CEO である John Maraganore 博士 (Ph.D.) は、「当社および提携している Vir 社の科学者たちが行っている、SARS-CoV-2 ゲノムを標的とする RNAi 治療薬の開発候補を特定する研究の質とペースを、私は大変誇りに思います。私たちの知る限り、VIR-2703 は、SARS-CoV-2 を標的として直接作用する抗ウイルス薬で現在までに報告されているものの中では、最も効果の高いもののひとつです。パンデミックの展開が続く中、私たちは、COVID-19、さらには将来的なコロナウイルス感染症に対する RNAi 治療薬の研究開発の取り組みを、最大の緊急性をもって拡大し、促進しています」と述べました。

両社は、SARS-CoV-2 ゲノムを標的とする開発候補薬に加え、アルナイラム社の siRNA の最新の肺への薬剤送達技術も活用します。この技術は、SARS-CoV-2 感染症の標的となりうる気道内の細胞を含む、気道内の複数の細胞型の遺伝子標的に対して広範な発現抑制 (サイレンシング) を発揮するものです。さらに、両社は Vir 社の感染症の専門性と確立された能力を駆使し、COVID-19 および潜在的な他のコロナウイルス感染症治療のために、最大 3 つの宿主因子を標的とする開発候補薬の追加開発を前進させます。

VIR-2703 (ALN-COV) について

VIR-2703 は、SARS-CoV-2 を標的とし、予防または治療することが期待される吸入型の siRNA です。VIR-2703 は、アルナイラム社の siRNA の最新の肺への薬剤送達技術を活用しており、他のコロナウイルスにも適用できる可能性があります。VIR-2703 は、最大 4 つの COVID-19 に対する RNAi 治療薬候補の特定を目指す Vir 社とアルナイラム社の提携拡大において、最初に選定された開発候補薬です。

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で得られるベネフィットの可能性、治験薬を早期申請し、VIR-2703 を COVID-19 の予防と治療のために前進し、ヒトでの臨床試験を開始するための両社の計画、その計画を実行し臨床試験を開始するタイミング、宿主因子を標的とし COVID-19 および他のコロナウイルス感染症の治療を目的とした新規の開発候補薬を特定する Vir 社の能力、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、SARS-CoV および SARS-CoV-2 ゲノムに対する VIR-2703 の予測される抗体反応、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、COVID-19 のパンデミックによる事業または臨床試験の遅延または中断、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、規制当局との会議日程を確保する困難さ、臨床試験の開始を早めるために必要なデータ取得の課題、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、siRNA の吸入製剤に関する計画、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して選定した開発候補薬である ALN-COV (VIR-2703) を含む siRNA および COVID-19 と潜在的には他のコロナウイルスのヒトにおける宿主因子を標的とする siRNA の可能性、ALN-COV (VIR-2703) を治験薬として早期に申請し臨床で使用するための方法に関するアルナイラム社の予測、Vir 社と提携し COVID-19 のパンデミックや他のコロナウイルス の発生に対応する能力、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への直接的または間接的影響、COVID-19 のパンデミックに起因する活動および展望、その結果としての遅延や中断およびアルナイラム社の緩和策の奏功度、Vir 社と提携して ALN-COV および他の潜在的な開発候補薬をヒトでの治験に前進させるアルナイラム社の能力、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追加の新薬候補、ならびに肺への薬剤送達ならびに経鼻剤型および／または吸入剤型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 ALN-COV および他の潜在的な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の開始と完了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将来のエクイティファイナンスなしに達成するアルナイラム社の能力、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」などを含む、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