



2019年6月26日

各 位

## Oxford Biomedica 社との遺伝性網膜疾患に対する遺伝子治療製品の開発に向けた 研究開発連携およびライセンス・オプション契約締結のお知らせ

2019年6月26日、参天製薬株式会社（本社：大阪市、以下参天製薬）は、遺伝子・細胞治療大手企業 Oxford Biomedica 社（本社：英国オックスフォード）と遺伝性網膜疾患に対する遺伝子治療製品の研究開発に向けた研究開発連携および Oxford Biomedica 社が有するレンチウイルスベクター技術（LentiVector®プラットフォーム）に関するライセンス・オプション契約を締結しましたので、お知らせします。

遺伝性網膜疾患は、遺伝子の変異によって視力低下や失明が引き起こされる希少疾患の総称で、現在特定されている原因遺伝子は 260 以上あり、子供や若年成人に発症することもあります\*。遺伝性網膜疾患は、その原因となる変異遺伝子の多くが既に特定されており、遺伝子治療によるアプローチが有効と考えられます。加えて、眼は、遺伝子治療用ベクターを患部組織に直接送達することが可能であり、遺伝子治療に向けた器官と言えます。今回用いるレンチウイルスベクターの主な利点は、他のベクターでは技術的に困難な、はるかに大きなサイズの治療用遺伝子を技術的に送達できるという点です。

本研究開発連携の目的は、Oxford Biomedica 社のレンチウイルスベクター技術を利用して、特定の遺伝性網膜疾患を対象にした遺伝子治療用ベクターを開発し、その妥当性を非臨床試験で検証することです。参天製薬は今回締結するライセンス・オプション契約により、Oxford Biomedica 社の LentiVector®プラットフォームについて、商業製造を含めたライセンスのオプション権を獲得します。今回の研究開発の成果に関しては、参天製薬が全世界における販売権を保有し、Oxford Biomedica 社は、オプション行使時の一時金、開発の進捗に応じたマイルストーン、および売上高に応じた最大 10%のロイヤリティを受ける権利を有します。加えて、Oxford Biomedica 社は、今回の成果の米国・欧州での開発・商業化への共同投資のオプション権を保持します。

Oxford Biomedica 社 CEO ジョン・ドーソンは以下のように述べています。「当社にとって初めて日本で、眼科領域をリードするグローバル企業である参天製薬と連携体制を構築し、治療の選択肢が限定的あるいは手だてがない重篤な遺伝性網膜疾患の治療に向けて革新的な遺伝子治療製品の開発ができることを喜ばしく思います。当社の LentiVector® プラットフォームは、眼への、より大きな遺伝子の送達による治療に、特に適していると考えています。遺伝子治療用ベクターと遺伝性網膜疾患における両社それぞれの専門性を活かし、この重要な研究開発プログラムの価値を最大化できる真のパートナーと

して、連携できることを楽しみにしています。」

参天製薬チーフ・サイエンティフィック・オフィサー兼研究開発本部長であるナヴィード・シャムズは、「Oxford Biomedica とともに、同社のレンチウイルスベクタープラットフォームを活用して、遺伝性網膜疾患の革新的な治療法を開発できることを嬉しく思います。これにより、参天製薬は、視力に悪影響を及ぼす遺伝性網膜疾患に苦しむ患者さんのニーズに応えたいと考えています。この研究開発連携は、参天製薬が日本医療研究開発機構の CiCLE (医療研究開発革新基盤創生事業) プログラムの一環として行っている研究活動の一つであり、この連携により、私たちは眼科医療に貢献していきたいという決意をさらに強めています」と言っています。

以上

\*出典: US National Library of Medicine National Institutes of Health ホームページ

「Translational Vision & Science Technology」 <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6052953/>

#### お問い合わせ

##### **Oxford Biomedica plc**

John Dawson, Chief Executive Officer

Tel.: +44 (0) 1865 783 000

Stuart Paynter, Chief Financial Officer

Tel.: +44 (0) 1865 783 000

Catherine Isted, Head of Corporate Development & IR

Tel.: +44 (0) 1865 954 161 / E-mail: [ir@oxb.com](mailto:ir@oxb.com)

Sarah MacLeod, Head of Communications

Tel.: +44 (0) 7747 602 739 / E-mail: [media@oxb.com](mailto:media@oxb.com)

##### **m Strategic Communications (financial PR for OXB)**

Tel.: +44 (0)20 3709 5700

Mary-Jane Elliott/Matthew Neal

##### **参天製薬株式会社**

TEL: 06-4802-9360

大阪市北区大深町 4-20 グランフロント大阪 タワー A

E-mail: [ir@santen.com](mailto:ir@santen.com)

コーポレート・コミュニケーション・グループ グループマネージャー

クリストファー・ホフマン

#### Oxford Biomedica 社について

Oxford Biomedica 社は、人生を左右する重篤疾患治療法の開発を主な専門とする遺伝子・細胞療法のリーディンググループです。Oxford Biomedica 社とその子会社(以下「グループ」)は、他社に先駆けてレンチウイルスベクター送達プラットフォーム(LentiVector®)を構築し、それを梃子に、グループ内でおよび他社との連携で生体内・生体外製品を開発しています。同グループは、腫瘍および眼科・中枢神経系疾患の領域で、遺伝子・細胞療法製品の貴重な候補群を独占的に生み出してきました。同グループはまた、Novartis、Sanofi、Axovant Gene Therapies、Orchard Therapeutics、Boehringer Ingelheim、UK Cystic Fibrosis Gene Therapy Consortium、Imperial Innovations 等、多くの企業と提携しており、それにより今後登場する他の遺伝子・細胞治療製品に対して長期の経済的権利を有しています。Oxford Biomedica 社は、英国オックスフォードシャーに複数の拠点をもち、その従業員は 430 名以上です。詳しくは [www.oxb.com](http://www.oxb.com) をご覧ください。

#### 参天製薬(参天製薬株式会社、本社:大阪市)について

参天製薬は、眼科に特化したスペシャリティ・カンパニーとして、医療用・一般用の医薬品や、医療機器の研究、開発、販売・マーケティング活動を行っています。世界約 60 を超える国・地域で製品を販売しており、国内の医療用眼科薬市場においては No.1 のシェアを有しています。130 年近くの歴史の中で培われた科学的知見や企業力を活かし、今後も、価値ある製品・サービスの提供を通じ、患者さんや患者さんを愛する人たちを中心として、社会への貢献を果たしてまいります。詳細については、当社ホームページ [www.santen.co.jp](http://www.santen.co.jp) をご参照ください。

当内容は 2019 年 6 月 26 日に発表した英文リリースの翻訳版です。正式言語が英語であるため、表現や内容につきましては英文プレスリリースが優先されます。

英文プレスリリースは、右記 URL よりご参照ください。 [www.santen.com](http://www.santen.com)