



2021年12月16日

各位

デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する遺伝子治療薬 delandistrogene moxeparvovec (SRP-9001) の導入契約締結について

- ・ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する遺伝子治療薬として開発中の delandistrogene moxeparvovec (SRP-9001) を導入。日本における独占的販売権を取得
- ・ サレプタ社がロシュ社と協働のもと、delandistrogene moxeparvovec のピボタル第 III 相臨床試験である EMBARK 試験を実施中

中外製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：奥田 修）は、F. ホフマン・ラ・ロシュ社（本社：スイスバーゼル市、CEO：セヴリン・シュヴァン）と、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD: Duchenne muscular dystrophy）に対する遺伝子治療薬として同社およびサレプタ・セラピューティクス社（本社：米国マサチューセッツ州ケンブリッジ、社長 兼 CEO：ダグラス・S・イングラム）が開発中の delandistrogene moxeparvovec (SRP-9001) について、導入契約を締結しましたのでお知らせいたします。

本契約の締結により、中外製薬は delandistrogene moxeparvovec の日本における独占的販売権の許諾を受け、その対価として契約一時金およびマイルストーンをロシュ社に支払います。delandistrogene moxeparvovec については、サレプタ社がロシュ社との協働のもと、DMD を対象とした第 III 相臨床試験である EMBARK 試験を実施中です。ロシュ社とサレプタ社間の契約に基づき、サレプタ社が今後も引き続き日本を含むグローバルでの臨床試験を主導します。中外製薬は、国内における薬事申請および販売を担います。

代表取締役社長 CEO の奥田 修は、「delandistrogene moxeparvovec は、中外製薬にとって初めての遺伝子治療によるプロジェクトです。イノベーションによるアンメットメディカルニーズの解決を目指す当社にとって、外部パートナーとの協働を通じて日本の患者さんに新たなモダリティによるイノベーションを届けることは大変重要であり、本契約の締結を嬉しく思います」と述べるとともに、「delandistrogene moxeparvovec を通じ、重篤かつ進行性の神経筋疾患である DMD の方々の治療に貢献できるよう、ロシュ社およびサレプタ社と緊密に連携してまいります」と語っています。

delandistrogene moxeparvovec は AAVrh74 ベクターを用いた開発中の遺伝子治療です。マイクロジストロフィンをコードする遺伝子をダイレクトに筋細胞に送達することで、マイクロジストロフィンタンパクを発現させることが期待されています。delandistrogene moxeparvovec は米国、EU および日本において希少疾病用医薬品指定を受けています。

中外製薬は引き続き、ロシュ・グループの研究・開発資源を有効に活用した画期的新薬の探索により、アンメットメディカルニーズの解決に取り組んで行く所存です。

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD: Duchenne muscular dystrophy) について

デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD: Duchenne muscular dystrophy) は、進行性筋肉の障害や QoL の悪化、および早期死亡に繋がりが得る X 連鎖性の希少神経筋疾患です¹⁻³⁾。DMD は、世界の出生男児の 3,500~5,000 人に約 1 人の割合で発症します¹⁻³⁾。国内での患者数は 4,000~5,000 人と推定されます⁴⁾。

[出典]

1. Ryder S, et al. The burden, epidemiology, costs and treatment for Duchenne muscular dystrophy: an evidence review. *Orphanet J Rare Dis.* 2017; 12:79
2. Han S, et al. Population-Wide Duchenne Muscular Dystrophy Carrier Detection by CK and Molecular Testing. *BioMed Res Int.* 2020; 2020:1-12;
3. Aartsma-Rus A, et al. The importance of genetic diagnosis for Duchenne muscular dystrophy. *J Med Genet.* 2016; 53:145-151;
4. Miyatake S. et al, *実験医学* 34(19):3151-3158, 2016.

以上