



平成 28 年 7 月 20 日

各 位

会 社 名 株式会社アイロムグループ  
代 表 者 名 代表取締役社長 森 豊隆  
(コード番号 2372 東証第一部)  
問 合 せ 先  
役 職 専務執行役員 CEO オフィス長  
氏 名 谷田 洋平  
電 話 03-3264-3148

## 当社子会社による九州大学向け網膜色素変性治療剤の 製造方法の確立に成功したことのお知らせ

当社の 100%子会社である株式会社 ID ファーマ（以下、「ID ファーマ」という）は、国立大学法人九州大学（以下、「九州大学」という、総長 久保 千春）より、網膜色素変性治療剤の製造方法の確立等に関わる役務を請け負い、この度製造方法の確立に成功致しましたのでお知らせいたします。

### 1. 本役務の概要

九州大学は、網膜色素変性の遺伝子治療臨床研究（総括責任者：九州大学大学院医学研究院眼科学分野 教授 園田康平）を、平成 25 年 3 月 26 日から開始しています。この度、九州大学は、網膜色素変性の遺伝子治療剤の臨床開発を加速させるために、網膜色素変性の医師主導型治験（以下、「本治験」という）をあらたに開始することを計画しています。本治験にはサル免疫不全ウイルスベクター（※1）に治療用遺伝子を搭載したもの（以下、「本治療用ベクター（※2）」という）を使用します。本治療用ベクターの GMP（※3）基準での製造について本治療用ベクターに関わる技術を有する ID ファーマが請け負い、製造技術の開発並びに製造条件や品質検査法等の一連の製造方法を確立することに成功致しました。今後九州大学で実施される本治験では、ID ファーマが確立させた製造方法で作製された治療用ベクターが使用されることとなります。

### 2. 本製剤開発の背景

#### (1) 対象疾患

網膜色素変性は、網膜に存在する光を感じる細胞が徐々に失われていく遺伝性の病気です。約 5 千人に 1 人の頻度で見られ、青年期より発症し、やがて失明に至る可能性があります。すでに約 50 種類の遺伝子異常が原因として明らかになっていますが、現在は有効な治療法がなく、厚生労働省から難病と指定されています。本治験により医薬品としての安全性と有効性が確認されれば、患者様の失明防止に向けた大きな一歩になると考えています。

#### (2) 本製剤の特色

本治療用ベクターは、ID ファーマが九州大学と共同開発したものであり、同社が将来のバイオ医薬品候補として開発を進める国産ウイルスベクターです。遺伝子を運ぶためのベクターには、サル免疫不全ウイルスベクターが使用され、また、治療遺伝子として神経細胞の脱落を防ぐ神経栄養因子（※4）であるヒト色素上皮由来因子（hPEDF）を使用しています。非臨床試験では光を感じる細胞の喪失を効果的に抑制することを確認しており、投与後 5 年の経過観察においても安全性に大きな問題がないことが明らかになっています。

### 3. 業績に与える影響

本役務請負業務の完了による平成 29 年3月期の業績への影響はありません。当期の業績予想に変更はありませんが、変更が生じる場合は速やかにお知らせいたします。

#### ※1. サル免疫不全ウイルスベクター

サル免疫不全ウイルスベクター (SIV : Simian Immuno-deficiency Virus Vector) は、ヒトに病原性を持たないサルのレンチウイルスをもとに開発されたベクターで、細胞の染色体に組込まれることにより、搭載遺伝子を長期にわたって発現することができるという特長を持っています。ID ファーマはこのサル免疫不全ウイルスベクターを独自の技術で改良してきましたが、今後の遺伝子医薬品としての応用が期待されます。

#### ※2. 本治療用ベクター

本治療には、サル免疫不全ウイルスベクター (SIV) に治療遺伝子である神経栄養因子 (hPEDF) を搭載した SIV-hPEDF ベクターを治療用ベクターとして使用します。

#### ※3. GMP

Good Manufacturing Practice のことで、医薬品や医療機器の安全性を確保するために、製造設備とその管理、品質管理、製造管理について製造業者が守らなくてはならないことを明確にした基準のことで、厚生労働省による省令によりその基準が示されております。

#### ※4. 神経栄養因子

神経栄養因子は、主に神経細胞を保護しその生存維持作用を有するタンパクの総称のことです。網膜色素変性に対しては、網膜色素上皮由来の神経栄養因子 (PEDF)、肝実質細胞増殖因子 (HGF)、脳由来神経栄養因子 (BDNF) などが変性抑制効果を持つと報告されています。

#### 【参考情報】特許取得状況

ID ファーマは、本治療用ベクターに関わる特許を九州大学と共同で取得しています。特許の概要は以下の通りです。

名称	SIV-PEDF ベクターを用いた眼組織細胞におけるアポトーシス変性を伴う疾患の治療薬
国際出願番号	PCT/JP2006/303032 (2006.2.21)
内容	本発明は、色素上皮由来因子 (PEDF) の効果的投与による眼組織細胞におけるアポトーシス変性を伴う疾患の新規治療方法を提供する。緑内障の最終病態である神経節細胞死を防止する手段として PEDF に着目し、さらに PEDF の効果的なデリバリー方法として SIV ベクターに着目して、SIV-PEDF ベクターを構築した。SIV-PEDF ベクターを、虚血性再灌流モデルおよび NMDA 誘導モデルに網膜下投与したところ、神経節細胞死の顕著な抑制効果が観察され、SIV-PEDF ベクターが緑内障などの眼組織細胞におけるアポトーシス変性を伴う疾患治療用医薬品として有効であることを示した。
対象国	日本、米国、中国

以上