

本資料は、米バイオベラティブ社が 2018 年 5 月 16 日（現地時間）に発表したプレスリリースを日本語訳として発表させていただくものです。よって必ずしも日本の状況を反映したものでないことをご了承ください。内容につきましては原本である英文が優先します。

2018 年 6 月 1 日

報道関係各位

バイオベラティブ・ジャパン株式会社

Sangamo とバイオベラティブ、鎌状赤血球症を治療するゲノム編集細胞治療法で BIVV003 の IND 申請を FDA が受理したと発表

カリフォルニア州リッチモンドおよびマサチューセッツ州ウォルサム – 希少血液疾患の患者さんの人生を変えることに邁進するサノフィグループのバイオベラティブと Sangamo Therapeutics Inc.

（NASDAQ:SGMO、以下 Sangamo）は本日、鎌状赤血球症患者に対するゲノム編集細胞治療法候補である BIVV003 の臨床試験実施申請（IND）を米国食品医薬品局（FDA）が受理したと発表しました。バイオベラティブと Sangamo は、鎌状赤血球症とβサラセミアに対するゲノム編集細胞治療法の開発と製品化を目的としたグローバルな独占的提携の一環として BIVV003 を開発しています。

バイオベラティブの臨床開発担当バイスプレジデントであるケン・ハットナー博士は次のように述べています。「今回の受理により、ゲノム編集細胞治療法に関して 1 年未満で 2 つめの IND が実現したことになります。鎌状赤血球症に対するゲノム編集治療法としては初めての IND となります。これは、最先端のサイエンスで進歩を生み出すという私たちのコミットメントを表すものであると同時に、鎌状赤血球症の効果的な治療法を切望している多くの患者さんに希望をもたらします。このプログラムの治験への移行が楽しみです。」

Sangamo のチーフメディカルオフィサーであるエドワード・コナー博士は次のように述べています。

「鎌状赤血球症は、重篤かつ深刻なつらい合併症を伴う、一生続く血液疾患であり、患者さんにはより効果的な新しい治療選択肢が必要です。ゲノム編集細胞治療法には、単回の施行で鎌状赤血球症患者さんに生涯にわたる治療を提供できる可能性があります。ジンクフィンガーヌクレアーゼ（ZFN）技術の精度、効率性、特異性は、他の開発中のゲノム療法と一線を画しているのが BIVV003 の特徴です。」 BIVV003 は、ジンクフィンガーヌクレアーゼ（ZFN）編集技術を用いた非ウイルス性アプローチです。患者さんの赤血球前駆細胞で BCL11A 遺伝子の特異的配列を改変することにより、鎌状ヘモグロビンの産生を抑制し、胎児型ヘモグロビンの産生量を鎌状赤血球症の進行を防ぐレベルまで復活させます。

IND が受理されたことで、バイオベラティブは鎌状赤血球症の成人患者を対象に BIVV003 の安全性、忍容性、効果を評価する第 1/2 相治験を開始することができ、今年中に全米各地で治験実施施設を数カ所立ち上げる予定です。現在、Sangamo は、BIVV003 と同様のゲノム編集アプローチを使用した ST-400 の安全性、忍容性、有効性を評価する第 1/2 相治験に輸血依存性βサラセミア患者を登録中です。

鎌状赤血球症について

世界で毎年 30 万人の子どもが鎌状赤血球症を持って生まれており、米国には約 10 万人の鎌状赤血球症患者さんがいます¹。鎌状赤血球症患者さんは、全身の細胞に酸素を運ぶ赤血球中のタンパク質であるヘモグロビンを変異させる遺伝子を持っています。鎌状変異によって赤血球が鎌（三日月）のような異常な形になることで、酸素運搬機能が低下し、それが慢性貧血、深刻な疼痛を伴う脈管閉塞症の発症、多臓器障害、脳卒中などの合併症、余命短縮につながります。

BIVV003 と第 1/2 相治験について

BIVV003 は、ジンクフィンガーヌクレアーゼ (ZFN) 技術を使って患者さん自身の造血幹細胞 (HSC) をゲノム編集するという自己細胞療法です。第 1/2 相治験実施計画書では、患者さんの血液から HSC を分離し、その後、胎児型ヘモグロビンの重要な調節因子である BCL11A 遺伝子の赤血球エンハンサー (erythroid enhancer) を改変するために、ZFN を使って HSC を ex-vivo でゲノム編集します。前処置レジメン後、胎児型ヘモグロビンの産生が増加した赤血球を産生することを目的に、患者さんに自身の改変 HSC を注入します。患者さん自身の細胞を使用することにより、グラフト生着不全のリスクを減らし、移植片対宿主病のリスクとドナーからの移植に伴う免疫抑制の必要性を排除します。

Sangamo とバイオベラティブの提携について

バイオベラティブと Sangamo は、鎌状赤血球症とβサラセミアのための ZFN 仲介ゲノム編集細胞治療法の開発と製品化を目的に、グローバルな独占的提携を結んでいます。提携契約条件に基づき、バイオベラティブは BIVV003 の第 1/2 相治験の実施とそれに続くグローバルな臨床開発と製造、製品化を担当します。

サノフィグループのバイオベラティブについて

サノフィグループのバイオベラティブは、革新的治療法の世界的研究、開発、および製品化を通じ、血友病およびその他の希少血液疾患の患者さんの人生を変えることに邁進しています。バイオベラティブは、血液疾患コミュニティと積極的に連携することに全力を注いでおり、弊社の開発した血友病治療薬は上市時、20 数年ぶりに血友病治療の進展に大きく貢献しました。詳細については、www.bioverativ.com をご覧いただくか、Twitter で @bioverativ をフォローしてください。

Sangamo Therapeutics について

Sangamo Therapeutics は、ゲノム編集、遺伝子治療、遺伝子調節、細胞治療における独自のプラットフォーム技術を活用し、画期的な研究から患者さんの人生に変革をもたらす遺伝子治療を生み出すことを専門としています。現在、血友病 A、血友病 B、リソソーム蓄積症 MPS I、MPS II、βサラセミアに関する第 1/2 相オープン試験を進めています。Sangamo は、オンコロジー分野の組換え細胞療法ではギリアドグループである Kite 社と、血友病 A の遺伝子治療プログラムでは Pfizer 社と、βサラセミアや鎌状赤血球症などのヘモグロビン異常症ではバイオベラティブと、ハンチントン病治療薬の開発では Shire International GmbH と、それぞれグローバルな独占的提携を締結しています。Sangamo の詳細については、同社のウェブサイト www.sangamo.com をご覧ください。

References:

1. World Health Organization; Piel et al. 2013. Lancet 381: 142-51.