

2014. 2. 19

## ジェンザイム社とアルナイラム社、希少遺伝疾患の提携を拡大

- ジェンザイム社は、アルナイラム社パイプラインの大幅なグローバルでの権利を取得
- アルナイラム社は、北米および西欧での大部分の製品権利を留保
- ジェンザイム社は、7億ドルの株式投資により、アルナイラム社の主要株主に

2014. 2. 19

Genzyme and Alnylam Expand Collaboration on Rare Genetic Diseases 本資料は、2014年1月13日（米国時間）にジェンザイム社が発表したプレスリリースを翻訳・編集したものです。原文（英文）と翻訳に相違がある場合には、その内容および解釈については原文が優先します。原文（英文）は、ジェンザイム社のサイト([www.genzyme.com](http://www.genzyme.com))からご覧いただくことができます。

### 2014年1月13日（米国時間）ジェンザイム社プレスリリース

サノフィ・グループの一員である Genzyme（サノフィ社（EURONEXT：SAN および NYSE：SNY）の一員；以下、ジェンザイム社）と Alnylam Pharmaceuticals, Inc.（NASDAQ：ALNY；以下、アルナイラム社）は本日、希少遺伝疾患の治療薬を開発および販売する戦略的契約を大幅に拡大したことを発表しました。ジェンザイム社は、アルナイラム社の臨床・非臨床試験段階にある候補薬剤のポートフォリオに対して大幅な権利を取得します。アルナイラム社は、北米および西欧における大部分の製品権利を留保し、希少疾患においてジェンザイム社が確立したグローバルな基盤を通して、遺伝子医薬品パイプラインの開発および販売の機会が大きく広がります。

ジェンザイム社の社長兼最高経営責任者であるデイビッド・ミーカー博士（David Meeker, M.D.）は、「今回の提携は、当社の将来に向けた重要な基盤になります。自社の製品パイプラインが強化され、十分に確立されたグローバル組織を通して、希少疾患を有する世界中の患者さんのニーズに応える機会が得られます」と述べ、さらに「今回の提携は、会社の主要な成長の原動力の一つとして積極的にジェンザイム社へ投資するサノフィ社の責務をはっきりと強調するものでもあります。アルナイラム社との提携はこれまで非常に協力的に進められており、アルナイラム社の世界的レベルの RNAi 技術は、希少遺伝疾患を対象とした今後の持続的な医薬品開発の基盤となることが期待されます」とも述べています。

また、アルナイラム社の最高経営責任者であるジョン・マラガノア博士（John Maraganore, Ph.D.）は、「ジェンザイム社との新たな関係はアルナイラム社にとって大きな転換点といえます。新しいクラスの遺伝子医薬品として RNAi 治療を世界中の患者さんに向けて前進させる上でも、株主の皆様へ価値をもたらす独立した先駆的なバイオ医薬品企業を確立する責務の上でも、大変革です。」と述べ、さらに「今回の新たな提携により、アルナイラム社はジェンザイム社のグローバルにおける確固たる能力を十分に活用し、「Alnylam 5x15」製品の市場参入を加速、拡大することが可能になります」とも述べています。

アルナイラム社とジェンザイム社は2012年にアルナイラム社の主力製品である patisiran の開発および販売を行う独占的提携を締結しました。patisiran は、神経系に障害をもたらす生命を脅かす希少疾患であるトランスサイレチン（TTR）家族性アミロイドポリニューロパチー（FAP）の治療薬として、第 III 相臨床試験の段階にあります。

ジェンザイム社とアルナイラム社の提携拡大には以下の事項が含まれます。

第 1 に、ジェンザイム社は patisiran の広範な権利を取得します。2012 年からの現契約に基づき、ジェンザイム社は日本およびアジア太平洋地域の国々で patisiran を販売する権利を得ていました。これらの地域において本対象疾患の有病率は不均衡に高くなっています。拡大された今回の契約により、ジェンザイム社は今後、アルナイラム社が販売地域を留保する北米および西欧を除く全域において、patisiran の販売を展開します。

第 2 に、ジェンザイム社は、アルナイラム社パイプラインの 3 製品を世界中で販売する権利を取得します。具体的には、(1)ジェンザイム社とアルナイラム社は、北米と西欧において、家族性アミロイド心筋症の治療薬として第 II 相臨床試験で開発段階にある ALN-TTRsc を共同開発および共同販売し、その他の世界各国では、ジェンザイム社が販売します。(2)ジェンザイム社は、早期臨床試験終了後にさらに 2 製品の権利を取得し、製品に応じて完全なグローバルでの権利か共同販売権のどちらかを選択できます。

第 3 に、ジェンザイム社は 2020 年 (2021 年末まで延長する可能性があります) まで、アルナイラム社パイプラインの中で希少遺伝疾患の治療を目的として開発される全製品について、北米と西欧以外での開発および販売を選択することができます。アルナイラム社は、自社の遺伝子医薬品パイプラインを北米と西欧で共同開発、共同販売する権利を留保します。

最後に、ジェンザイム社は過去 30 日間の平均株価に対して 27%上乗せした 1 株あたり約 80 ドルの価格で 7 億ドルの株式投資を行い、アルナイラム社の株式約 12%を保有する主要株主となります。さらに、ジェンザイム社が開発および販売に関するオプトインを選択したプログラムについては、2015 年 1 月 1 日から研究開発資金をアルナイラム社に提供します。さらに、アルナイラム社はマイルストーンペイメントと特許権使用料を得ることができます。

今回の提携は両社の役員会で承認されており、ハート・スコット・ロディノ反トラスト改正法に従って通常の決算条件と清算が適用されます。

#### 電話会議について

アルナイラム社とジェンザイム社の経営陣は 2014 年 1 月 13 日、東部標準時 AM9:00 (太平洋時間 AM 6:00) に電話会議により今回の新たな提携について説明します。アルナイラム社ウェブサイト ([www.alnylam.com](http://www.alnylam.com)) の News & Investors において、電話会議に使用するスライドも公開する予定です。会議にアクセスするには、開始時間の 5 分前に 877-312-7507 (国内) または 631-813-4828 (国外) をダイヤルし、会議 ID 31887205 を照会してください。電話会議の再生は 2014 年 1 月 13 日の東部標準時 PM12:00 (太平洋時間 AM9:00) から提供を開始します。再生にアクセスするには、855-859-2056 (国内) または 404-537-3406 (国外) をダイヤルして会議 ID 31887205 を照会してください。

#### アルナイラム社について

アルナイラム社は、RNA 干渉、すなわち RNAi に基づいた新薬を開発するバイオ医薬品企業です。アルナイラム社は、革新的な新しいクラスの医薬品として RNAi の転換を主導しており、遺伝性疾患の治療を目的とした RNAi 治療に注力しています。2014 年早期に更新される「Alnylam 5x15」戦略の一環として、アルナイラム社は 2015 年末までに、第 III 相開発段階にある 2 つ以上のプログラムや開発コンセプト (Proof of Concept) が検証された 5~6 つのプログラムを含め、6~7 品目の遺伝子医薬の候補品を臨床開発段階に進める予定です。

### サノフィ社のグループ会社であるジェンザイム社について

ジェンザイム社は、30年以上にわたり、希少疾患を有する患者さんの生活に変化をもたらす治療法の開発および供給における草分け的存在です。世界最高水準の研究ならびに当社従業員の熱意および献身により、その目標を達成しています。当社は、希少疾患および多発性硬化症に焦点を置き、患者さんおよびその家族の生活に有益な影響を与えられるように専心しています。この目標を日々の指針および励みとしています。ジェンザイム社のポートフォリオは、世界中の国々で市販され、患者さんに変化をもたらす治療法であり、画期的で人命を救う医学の進歩を示しています。ジェンザイム社は、サノフィ・グループの一員として、世界最大級の製薬会社の規模と資源を活かし、共に患者さんの生活の質の向上に取り組んでいます。詳細につきましては、[www.genzyme.com](http://www.genzyme.com) をご覧ください。Genzyme®は Genzyme Corporation の登録商標です。無断複写・転載を禁じます。

### サノフィ社について

サノフィ社はグローバルな総合的ヘルスケアリーダーで、患者さんのニーズにフォーカスした治療ソリューションの創出、研究開発、販売を行っています。ヘルスケア分野において、次の7つの成長基盤を中核としています。糖尿病治療、ヒト用ワクチン、革新的新薬、コンシューマー・ヘルスケア、新興市場、動物用医薬品および新生ジェンザイムです。サノフィ社はパリ（EURONEXT：SAN）とニューヨーク（NYSE：SNY）に上場しています。