



平成 27 年 3 月 18 日

各 位

会 社 名 株式会社アイロムホールディングス  
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 取締役 社長室長  
氏 名 谷田 洋平  
電 話 03-3264-3148

## 当社子会社による遺伝子治療製剤の日本での開発品として 中国における初の臨床試験許可取得のお知らせ

当社子会社のディナベック株式会社（以下、「ディナベック」という）は、虚血肢治療製剤の開発品（開発コード：DVC1-0101）について、日本企業の遺伝子治療製剤の開発品として初めて中国における臨床試験許可を取得しましたのでお知らせいたします。DVC1-0101 についてはディナベックが米国・欧州・日本等での上市を視野に入れてオーストラリアにおける臨床試験準備を進めています。これと並んで中国での臨床試験許可が得られたことで、全世界のより多くの患者様の治療に貢献することが期待されます。

### 記

#### 1. 本臨床試験許可の意義

このたび中華人民共和国国家食品薬品監督管理総局(CFDA)（※1）から、DVC1-0101 の中国における臨床試験許可が得られました。DVC1-0101 が薬品登録の関連要求を満たしているため第 I 相臨床試験の実施を許可するとの内容です。

中国では 2003 年 10 月に世界で初めてのがん遺伝子治療製剤の製造・販売が許可されたことで、同国の遺伝子治療に関わる取り組みが世界中から大きな注目を浴びましたが、その後一転して同国の規制当局は遺伝子治療製剤の申請に対して慎重な姿勢を取ってきました。しかしながら近年、欧米諸国において遺伝子治療に対する期待が再び高まってきたことに伴い、それが中国にも波及して今回の臨床試験許可に繋がったと思われます。

ディナベックはオーストラリアにおける DVC1-0101 の臨床試験を予定していますが、これに必要な治験薬や米国・欧州・日本等での上市後市販薬も合わせて、このほど建設する GMP ベクター製造施設において製造する予定であり、DVC1-0101 を世界に向けて供給するための製造インフラも整備しつつあります。

虚血肢は中国国内だけでも現在 2,000 万人の患者様がいらっしゃると言われています。DVC1-0101 の中国国内での臨床試験により良好な成果が得られれば製品開発が加速され、遺伝子治療を用いて重篤な疾患に悩む患者様の治療に貢献することが期待されます。

#### 2. 虚血肢治療製剤（DVC1-0101）について

DVC1-0101 の対象疾患である虚血肢は閉塞性動脈硬化症の一種で、肥満・糖尿病・高血圧・高脂血症等の要因により下肢の血管の内腔が狭くなり血流が悪くなる結果、下肢疼痛、歩行困難からやがて下肢の潰瘍や壊死に至り、重篤な患者様は下肢切断に至るといったものです。いずれも患者様のクオリティ・オブ・ライフ（QOL）に深刻な影響を与えます。根本的な治療法はなく、遺伝子治療に寄せられる期待は大きいと言えます。

DVC1-0101 は下肢に新しい血管を作り血行を再開させて治療する「血管新生遺伝子治療」です。DVC1-0101 に用いる治療用遺伝子は、FGF-2（塩基性繊維芽細胞増殖因子）です。この遺伝子は患者様の体内で自らが血管新生のために働くほか、HGF（肝細胞増殖因子）や VEGF（血管内皮細胞増殖因子）など血管新生に作用する他の遺伝子をバランスよく発現させ、正常な機能をもつ血管を下肢に作り出します。この遺伝子を患者様の体内に運び込むベクターとして、センダイウイルスベクター（※2）を使用します。このベクターはこれまでのベクターと異なり、RNA として機能し、細胞核に入らず（染色体を傷つけることがない）、細胞質内で治療用タンパク質を大量に作ります。

本治療においてこのベクターを用いることで、医薬品の役割を果たす FGF-2 タンパク質を安全且つ大量に供給することが可能になり、高い有効性が期待できます。マウスやウサギを用いた前臨床研究では、DVC1-0101 が下肢の血行を再開させ、虚血による下肢の脱落を阻止することに有効であることが確認されています。

### 3. 業績に与える影響

本許可による当期の業績への影響は軽微と見込んでおります。また、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. 国家食品薬品監督管理総局

国家食品薬品監督管理総局（China Food and Drug Administration, CFDA）は、中華人民共和国の最高国家行政機関である国務院の直轄機関であり、医薬品の研究・製造・流通等の管理や食品・化粧品等の品質管理等を行っています。日本の厚生労働省医薬食品局や米国の食品医薬品局に相当します。

#### ※2. センダイウイルスベクター

遺伝子治療を行うためには、治療用遺伝子に加えて、治療用の遺伝子を特定の臓器・組織に運搬し、効果的に標的細胞内へ導入する働きを持つ物質、すなわち運び屋（ベクター）が必要です。ベクターとして利用されている物質は、毒性等を欠損させたウイルスや脂質が中心です。ディナベックが開発したセンダイウイルスベクターは、1950 年代に東北大学で発見されたセンダイウイルスをベクター用にデザインしたものであり、関連特許を包括的に取得した、当社オリジナルのベクターです。センダイウイルスベクターは DNA ではなく RNA を遺伝情報として用いるため、治療に伴い染色体を変異させるリスクがなく、さらに治療関係のタンパク質を発現する効率が他社のベクターよりも高く、遺伝子治療の拡大に寄与すると言われております。

以上