



バイエル薬品株式会社
〒530-0001
大阪市北区梅田 2-4-9
TEL 06-6133-7333
www.pharma.bayer.jp

News Release

本資料は 6 月 8 日にドイツ・バイエル社が発表したプレスリリースを日本語に翻訳したもので、報道関係者各位へ参考資料として提供するものです。本資料の正式言語は英語であり、その内容およびその解釈については英語を優先します。原文は www.press.bayer.com をご参照ください。

バイエル、パーキンソン病を対象に細胞・遺伝子を用いた 2 つの革新的な治療法を推進

- パーキンソン病は最も多くみられる神経変性疾患
- 世界で 1000 万人以上が罹患
- 現在、機能を回復させる治療法は存在していない
- バイエルは細胞治療と遺伝子治療という 2 つの方向からのアプローチで臨床試験を行い、革新的な治療法を追求

ドイツ・ベルリン、2021 年 6 月 8 日 — ドイツ・バイエル社は、臨床開発段階のバイオ医薬品を扱うバイエルの完全子会社 BlueRock Therapeutics (以下 BlueRock 社) が、第 I 相非盲検臨床試験において、DA01 と名付けられた多能性幹細胞由来ドパミン作動性ニューロンを 1 番目のパーキンソン病患者へ投与することに成功したことを発表しました。これと並行して、パーキンソン病に対する先進的な治療の提供を目的とした遺伝子治療プログラムの開発についても、アデノ随伴ウイルス(AAV)を用いた臨床開発段階の遺伝子治療技術を有するバイエルの完全子会社 Asklepios BioPharmaceutical (以下 AskBio 社) によって推進されています。このプログラムでは、現在進行中の第 Ib 相臨床試験で被験者の募集と評価を実施中です。

ドイツ・バイエル社の細胞・遺伝子治療部門責任者のヴォルフラム・カリウスは次のように述べています。
「BlueRock 社と AskBio 社のパーキンソン病への治療の候補製品には、大きな可能性があると考えています。この神経変性疾患の進行を止めて失われた機能を回復させることで、患者さんの真のアンメット・メディカル・ニーズに応えることが初めて可能になるかもしれません。臨床試験は未だ初期段階ですが、革新的な治療選択肢を非常に長い間待ち望んでこられた患者さんの生活を劇的に向上させられるよう、科学の大きな進歩に向け真摯に取り組んでいます」

パーキンソン病の患者数は世界で 1000 万人以上にのぼり、最も多くみられる神経変性疾患です。この疾患は脳内の神経細胞が障害されることによって引き起こされ、ドパミン(記憶や運動などのプロセスに関与する神経伝達物質)の減少をきたします。多くの場合、この疾患は片方の手の震えから始まります。その他の症状としては、筋固縮、筋痙攣、ジスキネジア(顔面、腕、足、体幹をくねくねさせるような不規則な不随意運動)などがあります。症状の緩和には、ドパミンの代用となるレボドパなどが通常使用されますが、その効果は病勢進行とともに低下し、現在のところ、利用可能な疾患修飾療法はありません。細胞・遺伝子治療では、この疾患の根本原因を標的とすることで、対症療法を超える治療の実現を目指します。

BlueRock 社は、ドパミン作動性ニューロンを使用することにより、ヒトの脳の病変領域の神経再支配、変性してしまった神経回路の修復、そして運動機能の回復を目標としています。BlueRock 社の臨床試験では、米国およびカナダの実施施設で患者 10 名を組み入れます。この試験では、被験者は脳の深部にある被殻にドパミン産生細胞を移植する外科手術を受けます。第 I 相試験(NCT04802733)の主要目的は、移植後 1 年時点での DA01 細胞移植の安全性および忍容性の評価です。副次目的は、移植後 1 年および 2 年時点での移植された細胞の生存や運動機能への影響のエビデンス、2 年時点での安全性および忍容性の評価です。

AskBio 社のアプローチは、AAV を用いてヒトのグリア細胞株由来神経栄養因子(GDNF)遺伝子を被殻内のニューロンに導入し、持続的に発現させることによって、パーキンソン病の影響で生じた中脳の黒質のドパミン神経細胞の変性を抑制するというものです。AAV-GDNF を使用した長期実験では、げっ歯類および非ヒト霊長類モデルにおいて、GDNF の持続的発現によって中脳ニューロンの再生と運動機能の大幅な回復が促進される可能性があることが示されました。AskBio 社の臨床試験では、現在、米国での第 Ib 相試験において、この治験製品の安全性および予備的に有効性を評価するため、被験者の募集と評価を実施中です。2020 年 8 月の第 Ib 相試験(NCT04167540)開始以来、現在までに計 10 名の被験者が登録されています。

バイエルについて

バイエルは、ヘルスケアと食糧関連のライフサイエンス領域を中核事業とするグローバル企業です。その製品とサービスを通じて、世界人口の増加と高齢化によって生じる重要課題克服への取り組みをサポートすることで、人々の生活と地球の繁栄に貢献しています。バイエルは、持続可能な発展を推進し、事業を通じて良い影響を創出することに尽力します。同時に、収益力を高め、技術革新と成長を通して企業価値を創造することも目指しています。バイエルブランドは、世界各国で信用と信頼性および品質の証となっています。グループ全体の売上高は 414 億ユーロ、従業員数は 100,000 名(2020 年)。特別項目計上前の研究開発費は 49 億ユーロです。詳細は www.bayer.com をご参照ください。

AskBio 社について

Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio 社)は、2020 年にドイツ・バイエルにより買収され、独立して運営されている完全子会社であり、遺伝子疾患を治癒して生命を救う医薬品の開発に特化した、AAV 遺伝子治療技術における完全統合企業です。神経筋疾患、中枢神経系疾患、心血管系疾患、および代謝疾患の適応で広範な臨床プログラムのポートフォリオを擁しており、ポンペ病、パーキンソン病、うっ血性心不全の治療薬のほか、血友病およびデュシェンヌ型筋ジストロフィーの臨床適応のアウトライセンスなども含まれています。AskBio 社の遺伝子治療プラットフォームには、業界をリードする独自の細胞株産生プロセスである Pro10™や、多様な AAV のカプシドやプロモーターのライブラリなどがあります。米国ノースカロライナ州のリサーチ・トライアングル・パークにグローバル本社、英国エディンバラにヨーロッパ本社を置き、独自に数百もの第三世代 AAV のカプシドやプロモーターを産生しており、そのいくつかは臨床試験に進んでいます。2001 年に創立された遺伝子治療分野の初期のイノベーターであり、AAV 産生やキメラおよび自己相補型カプシドなどの領域で 500 を超える特許を保有しています。詳細は www.askbio.com をご覧くださいか、[LinkedIn](#) でフォローしてください。

BlueRock Therapeutics について

BlueRock Therapeutics は、難治性疾患に対する再生医療の開発をミッションに据えた、細胞治療技術の企業です。同社の細胞 + 遺伝子プラットフォームでは、多能性細胞の生物学的特性とゲノム編集を同時に用いることで、機能を応用した本格的な細胞治療の創出、製造、提供を実現します。これによって、理論的には、治療を目的とした体内のあらゆる細胞の製造やゲノム内のあらゆる遺伝子の改変が可能になります。このプラットフォームは幅広い適用が可能であり、同社は現在、神経、心臓、および免疫の領域に焦点を当てています。同社は 2019 年 8 月に契約一時金とマイルストーンの支払いにより 10 億ドルの企業価値でドイツ・バイエルに買収されました。これは BlueRock 社は変性疾患が回復可能であることを実証し、治療に革命をもたらす新しい医薬品を切実に必要とする患者さんにお届けする道のりの新たな一歩となります。詳細は bluerocktx.com をご覧ください。

バイエル薬品株式会社

2021 年 6 月 11 日、大阪

※本資料は、国内の報道関係者の方々を対象に、バイエル薬品の企業活動に関する情報を提供しています。一般の方に対する情報提供を目的としたものではありませんのでご了承ください。

将来予想に関する記述 (Forward-Looking Statements)

このニュースリリースには、バイエルの経営陣による現在の試算および予測に基づく将来予想に関する記述 (Forward-Looking Statements) が含まれている場合があります。さまざまな既知・未知のリスク、不確実性、その他の要因により、将来の実績、財務状況、企業の動向または業績と、当文書における予測との間に大きな相違が生じることがあります。これらの要因には、当社の Web サイト上 (www.bayer.com) に公開されている報告書に説明されているものが含まれます。当社は、これらの将来予想に関する記述を更新し、将来の出来事または情勢に適合させる責任を負いません。