



平成 27 年 8 月 25 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 取締役 経営企画本部長
氏 名 谷田 洋平
電 話 03-3264-3148

当社子会社のサル免疫不全ウイルスベクターを用いた 嚢胞性線維症治療製剤に関する日本における特許取得のお知らせ

当社子会社の株式会社 ID ファーマ(以下、「ID ファーマ」という)は、サル免疫不全ウイルスベクター^{*1}を用いた気道上皮幹細胞用遺伝子導入技術(以下、「本遺伝子導入技術」という)について日本において特許を取得(査定)しましたのでお知らせいたします。

本遺伝子導入技術はセンダイウイルスのエンベロープタンパクによりシュードタイプ化^{*2}したサル免疫不全ウイルスベクター(F/HN-SIV ベクター)を用いて治療用遺伝子を気道上皮幹細胞に効率よく導入する画期的技術で、この技術を用いることにより治療用遺伝子を気道の細胞に効率的に遺伝子導入するとともに、これまでにない長期間(1年以上)発現することができるようになりました。

本遺伝子導入技術を用いた遺伝子治療としては、欧米の白人に多い遺伝病である嚢胞性線維症^{*3}の治療製剤の開発が、英国の嚢胞性線維症遺伝子治療コンソーシアム(CF コンソーシアム)^{*4}他によって進められています。

今回の特許査定によって本遺伝子導入技術の事業的優位性がより強化され、今後の ID ファーマの事業拡大と収益確保に資することが期待されます。

記

1. 特許の内容

今回特許査定を受けた本遺伝子導入技術の名称・内容・対象国(有効期限)は次のとおりです。

名称	RNA ウイルスまたは DNA ウイルスのスパイクタンパク質でシュードタイプ化したレンチウイルスベクターを用いた気道上皮幹細胞への遺伝子導入	
国際出願番号	PCT/JP2006/321517	
内容	センダイウイルスのエンベロープタンパクによりシュードタイプ化したサル免疫不全ウイルスベクター(F/HN-SIV ベクター)を用いて治療用遺伝子を気道上皮幹細胞に効率よく導入する技術を提供する。	
対象国	査定	日本(2026年10月27日)
	出願中	欧州・米国等

また本遺伝子導入技術に関わる技術の特許状況は次のとおりです。

名称	ヘマグルチニン活性を有する膜蛋白質を含むシュードタイプレトロウイルスベクター	
国際出願番号	PCT/JP01/04659	
内容	センダイウイルスのエンベロープタンパクによりシュードタイプ化したレトロウイルスベクター (F/HN-SIV ベクターを含む) 及びその製造法	
対象国	登録	日本、米国、欧州、カナダ、韓国(以上、全て 2021 年6月1日)、中国(2021 年5月 31 日)

2. 本遺伝子導入技術の概要

今回特許査定になった本遺伝子導入技術は、気道の細胞に効率よく遺伝子を導入するための技術として当社が独自に開発したものです。粘液層が存在する気道細胞への遺伝子導入は、これまでのベクターでは極めて困難でしたが、粘膜を通過する機能を持ったセンダイウイルスの外膜(エンベロープ)のタンパクをサル免疫不全ウイルスの表面に発現することでこの困難を克服しました。本遺伝子導入技術を用いれば、気道上皮の幹細胞に効率よく遺伝子を導入することが可能であり、しかも導入された遺伝子は1年以上の長期間にわたって機能を維持することが証明されています。

3. サル免疫不全ウイルスベクター技術の応用可能性

ID ファーマは、センダイウイルスのエンベロープタンパクによりシュードタイプ化したサル免疫不全ウイルスベクター技術に関わる特許を有し、主に遺伝子治療分野において応用を図ってきました。そのような応用技術のひとつとして、網膜色素変性症治療剤の特許が既に中国企業に導出され、中国での開発が進むとともに、わが国においては九州大学病院において臨床研究が進められています。

4. 業績に与える影響

本特許取得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. サル免疫不全ウイルスベクター

ベクターとは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のことです。サル免疫不全ウイルスベクターは、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、細胞の染色体に組み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. シュードタイプ化

ウイルスベクターの外膜(エンベロープ)タンパク質は、ウイルスが感染できる細胞を決定する重要な因子のひとつとなっていますが、このエンベロープタンパク質を別のウイルス由来のものに変更し、ウイルスベクターの感染性や指向性を変える技術です。

※3. 嚢胞性線維症 (Cystic Fibrosis、略してCFともいう)

欧米白人では 2500 人に一人の割合で発病する常染色体劣性遺伝の遺伝性疾患です。原因は CFTR という塩素イオンの細胞内外での濃度を調節するタンパクの遺伝子異常で、全身の外分泌腺(肺、膵臓、肝臓、消化管、汗腺、精巣など)の正常なはたらきが阻害され、水分の正常な調節ができなくなるため、粘度の高い分泌液が各器官の管に詰まり、呼吸困難や消化機能の低下を引き起こします。致死性の疾患で、現在のところ対症療法以外に有効な治療法は無く、患者様の多くは感染症を繰り返しながら、肺疾患のために成人に達するまでに亡くなります。現在、正常な CFTR 遺伝子を患者様の気道細胞に導入して CFTR タンパクを作らせることで、根本的な治療を図る試みがいくつか検討されており、CF コンソーシアムによる開発もそのひとつです。

※4. 嚢胞性繊維症遺伝子治療コンソーシアム(CF コンソーシアム)

嚢胞性繊維症の遺伝子治療法の開発を目的として英国の3大学(インペリアル・カレッジ、オックスフォード大学、エジンバラ大学)により 2001 年に結成された共同研究開発組織です。ID ファーマは 2010 年に同コンソーシアムと共同開発契約を締結し、共同して ID ファーマのベクター技術に基づく嚢胞性線維症治療製剤の開発を行なってきました。

以 上