



2016年7月28日

各 位

会 社 名 アステラス製薬株式会社  
代 表 者 代表取締役社長 CEO 畑中 好彦  
コード番号 4503  
(URL <http://www.astellas.com/jp>)  
東 証 ( 第 一 部 )  
決 算 期 3月  
問 合 せ 先 広報部長 臼井 政明  
Tel : (03) 3244-3201

## **Cytokinetics 社との骨格筋活性化剤に関する提携拡大 —CK-2127107 の開発対象疾患に筋萎縮性側索硬化症を追加—**

アステラス製薬株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：畑中 好彦、以下「アステラス製薬」）は、バイオベンチャーCytokinetics, Inc.（米国、カリフォルニア州サンフランシスコ、President and Chief Executive Officer: Robert I. Blum、以下「Cytokinetics 社」）との骨格筋活性化剤に関する提携契約を改定し、提携範囲を拡大しましたのでお知らせします。

本改定契約の内容は、以下の通りです。

- 提携範囲に筋萎縮性側索硬化症（以下「ALS」）を加え、今後、ALS も対象に速筋トロポニン活性化剤 CK-2127107 を開発。
- アステラス製薬が、Cytokinetics 社の開発する骨格筋活性化剤 tirasemtiv の開発及び商業化に関するオプション権を取得。
- 更なる次世代骨格筋活性化剤の創出を目的とした共同研究提携を 2017 年まで延長。

本改定契約の発効時に、CK-2127107 の提携対象に ALS を加える契約条件の改定、及び tirasemtiv に関するオプション権付与の対価として、アステラス製薬は総額 6,500 万ドルの一時金を Cytokinetics 社に支払います。

本改定契約の締結にあたり、両社は、ALS に関する CK-2127107 の開発計画に合意しました。アステラス製薬は、Cytokinetics 社に、同社が実施する CK-2127107 の ALS を対象とした第 II 相臨床開発費用及び継続する共同研究提携の費用として、2017 年までの間に追加で約 3,000 万ドルを支払う可能性があります。また、両社は、その後、CK-2127107 の ALS を対象とした承認取得に向けた

試験デザインの策定及び実施について協働するとともに、関連する開発費を両社で負担します。なお、アステラス製薬は、CK-2127107 の ALS に関する開発及び商業化の進捗に応じて、事前に合意した追加のマイルストーン支払いと売上に応じたロイヤリティを Cytokinetics 社に支払う可能性があります。

また、アステラス製薬は tirasemtiv のオプション権行使に際し、現在 Cytokinetics 社が実施している第 III 相臨床試験 VITALITY-ALS の結果の評価、及び米国と欧州における tirasemtiv の承認取得を含むその他の事項について検討した上で決定します。アステラス製薬がオプション権を行使した場合、全世界における提携の下、Cytokinetics 社は北米及び欧州を含む地域での開発及び商業化を行い、アステラス製薬はその他の地域での開発及び商業化を行い、両社はそれぞれの地域における売上に対するロイヤリティを互いに支払います。オプション権を行使した場合、アステラス製薬は、オプション権行使の対価及び追加のマイルストーン支払いとして総額 1 億ドル超、及び許諾地域における tirasemtiv の売上に応じ段階的に漸増する 2 桁台のロイヤリティを Cytokinetics 社に支払う可能性があります。

本契約は、米国の独占禁止法「Hart-Scott-Rodino Antitrust Improvements Act」の承認取得後に発効となります。これについては、当期第 2 四半期間（2016 年 7 月 1 日～9 月 30 日）に承認を取得できるものと考えています。

アステラス製薬は、2015 年に公表した 3 か年の経営計画において、「イノベーションの創出」を戦略課題として掲げています。「イノベーションの創出」では、新薬創出力の強化とともに、これまでの重点領域に加え、外部リソースも活用しながら、筋疾患や眼科領域など、未だ高いアンメットニーズの存在する新たな疾患領域にも積極的に挑戦しています。本提携の拡大は、こうした取り組みの一環です。ALS は世界各国で深刻なアンメットニーズが問題となっている疾患ですが、今回の契約改定によって Cytokinetics 社との提携範囲に ALS が加わることで、今後、筋疾患の治療に貢献できることを期待しています。

本件については、米国において現地時間 7 月 27 日に对外発表しています。

以上

### **tirasemtiv 及び CK-2127107 について**

tirasemtiv と CK-2127107 は、速筋トロポニン複合体のカルシウムに対する感受性を増大することにより、速筋を選択的に活性化する画期的な骨格筋活性化剤で、筋力低下や疲労と関連する疾患に対する新しい治療選択肢につながる可能性のある薬理活性が認められています。tirasemtiv の前臨床試験及び初期治験では、神経入力に反応して骨格筋力が増加し、筋肉疲労の発症が遅延し、筋肉疲労の程度が軽減されることが認められています。現在、先行試験で観察された呼吸機能と筋力の測定値に関する知見を確認及び拡大するためにデザインされた第 III 相臨床試験、VITALITY-ALS を実施中です。次世代骨格筋活性化剤である CK-2127107 については、健常人を対象に安全性、忍容性、バイオアベイラビリティ、薬物動態、薬動力学を評価した 5 件の第 I 相臨床試験を行っており、現在 SMA 及び慢性閉塞性肺疾患（COPD）の患者さんを対象に第 II 相臨床試験を実施しています。

### **筋萎縮性側索硬化症（ALS）について**

ALS は、米国では約 30,000 人、欧州においてもほぼ同数の人々を苦しめている進行性の神経筋変性疾患です。米国では、毎年、約 6,000 人が新たに ALS と診断されています。ALS に罹患すると、運動ニューロンが障害を受け徐々に死滅し、脳から脊髄を経た筋肉への命令が伝わらなくなります。その結果、使われなくなった筋肉が痩せ、萎縮し、歩行、会話、食事といった日常の活動が困難になります。ALS に罹患した場合の平均余命は診断後で 3~5 年、10 年以上生存できる患者さんはわずか 10% に過ぎません。通常、呼吸に関与する骨格筋の筋力低下により、呼吸不全で死に至りますが、これらの患者さんには治療選択肢がほとんどないため、機能障害や疾患の進行に対処できる新しい治療や治療薬に対する高いアンメットニーズが存在しています。

### **アステラス製薬と Cytokinetics 社との既存契約について**

両社は、筋肉の障害と減弱に関連する疾患、及び病状に関する画期的な治療薬の研究開発を主な目的として、骨格筋活性化剤の研究、開発、及び商業化について、非神経筋適応症における CK-2127107 の共同研究・共同開発契約を 2013 年に締結しました。2014 年には、提携範囲を拡大する契約改定を行い、脊髄性筋萎縮症（SMA）をはじめとする一部の神経筋適応症を含め、SMA を最初の適応症として CK-2127107 の第 II 相臨床開発を進めるほか、2016 年までの共同研究提携の延長などを合意しました。