

平成 29 年 11 月 6 日

<各位>

ナノキャリア株式会社
代表取締役社長 中富一郎
(4571 東証マザーズ)
問合せ先 取締役CFO兼社長室長 松山哲人
電話番号 03-3241-0553

VBL 社の画期的な遺伝子治療薬に関する国内ライセンス契約締結のお知らせ

当社は、VBL Therapeutics社 (NASDAQ: VBLT、本社：イスラエル、以下「VBL」) が所有する遺伝子治療薬で、米国を中心に第Ⅲ相臨床試験などを実施中の「VB-111」について、日本における独占的な開発・販売権に関するサブライセンス付きのライセンス契約を締結しましたので、お知らせいたします。

VBLが実施中の最も先行しているVB-111の臨床試験は、再発悪性神経膠芽腫 (rGBM) を対象とする第Ⅲ相試験で、既に患者登録が完了しています。経過観察期間を経て2018年第1四半期には、試験結果の速報が出る予定です。この第Ⅲ相試験は、米国FDAによるSpecial Protocol Assessment (SPA)^{※1}を受けています。また、VB-111は、欧米でオーファンドラッグ指定^{※2}および米国でファストトラック指定^{※3}を受けており、臨床試験の結果に基づいた迅速的な審査および承認取得が期待されます。米国中心に実施されたアバスチンとの併用による第Ⅱ相試験の成績は、OSが2倍近くに延長しています。さらに第Ⅰ相試験では本剤投与群には5年以上生存している例も認められており、rGBMの標準治療法になるポテンシャルが期待できます。

国内では新規に脳腫瘍を発症する患者数は年間約2万人とされています。悪性神経膠芽腫 (GBM) は脳腫瘍の中の約10%を占めますが、5年生存率は8%以下で脳腫瘍の中でも最も難治性であり、標準的な治療を行ってもほぼ全例が再発すると言われています。rGBMの薬物療法にはアバスチン、テモダール、ギリアデルなどが使われていますが、今のところ標準治療法は確立していません。

VB-111は、ファーストインクラスの遺伝子治療薬で、静脈注射により全身投与をすることでいかなる固形がんに対しても有効性を示す可能性があります。実際、rGBMに加え、プラチナ製剤に耐性となった卵巣がん、ならびに放射性ヨウ素内用療法後の再発甲状腺がんを対象にした第Ⅱ相臨床試験でPOCが検証されています。

本剤は、腫瘍血管を標的としてがんを兵糧攻めにすると共に、腫瘍免疫を惹起します。一方、当社のミセル化ナノ粒子製剤は、腫瘍細胞を標的にした治療薬を目指しています。当社は、2つの異なるメカニズムによる治療薬をパイプラインに持つことで、がん領域全般での地位を確立し、社会貢献するものと確信しています。また、本製品が医薬品として早期に実用化することで、当社の経営基盤が早い段階で強化されるものと期待しています。さらに、両社が有する技術の融合により、将来に渡って研究開発分野でシナジーを発揮し、さらなる画期的新薬を生む可能性を秘めています。



本契約に基づき、VBLは当社にVB-111を供給し、当社は日本における商業化に向けた臨床開発および販売を担当します。当社は、VBLに契約一時金として150万ドルを支払います。また、開発段階に応じたマイルストーンや、上市後は売り上げに応じた対価を支払います。

尚、平成30年3月期の業績への影響につきましては、本日別途開示します「業績予想の修正に関するお知らせ」をご参照ください。

VBL Therapeuticsと遺伝子治療薬「VB-111」について：

www.vblrx.com

Vascular Biogenics Ltd. (CEO: Dr. Dror Harats) は、2000年に設立されたイスラエルのバイオテクノロジー企業で、VBL Therapeuticsとして米国NASDAQ (VBLT) に上場しています。主力製品のVB-111 (一般名: ofranergene obadenovec) は非増殖型の5型アデノウイルスベクターを用いた二つの構成要素からなる遺伝子治療薬で、腫瘍血管をターゲットとする特異的な遺伝子発現制御配列 (改変型エンドセリンプロモーター: PPE-1-3x プロモーター) により、腫瘍の維持・増殖に必須である新生血管の内皮細胞を選択的にアポトーシスに誘導する遺伝子を発現させ、その結果として、抗腫瘍効果を発現します。またVB-111は、腫瘍免疫の引き金となる免疫刺激因子としても働き、CD8陽性T-細胞を誘導し、腫瘍細胞にアポトーシスを引き起こします。

※ 1 Special Protocol Assessment (SPA)

新薬の販売承認申請のために必要と考えられる臨床データの詳細について、臨床試験のデザイン、主要及び副次評価項目や解析計画をFDAとの協議により事前に合意し、試験終了後は合意内容に基づき、そのまま承認審査での承認要件として認める制度です。この制度を利用することにより、より確実に医薬品の市場投入が期待できます。

※ 2 オーファンドラッグ指定 (希少疾病用医薬品指定)

FDA が米国における患者数 20 万人以下の希少疾病に対する新薬開発を促進するために与えるもので、この指定を受けると 7 年間の排他的先発販売権が与えられます。また、米国政府からの補助金の獲得、臨床研究費用の税額控除、FDA 申請における医薬品審査手数料の免責、治験実施計画書の審査に対しての優遇措置が受けられます。

※ 3 ファストトラック指定 (優先承認審査制度)

重篤、または生命を脅かす恐れのある疾患やアンメットメディカルニーズの高い疾患に対し、治療効果が期待される画期的新薬についてFDAが優先的に審査し、早期実用化を促す制度です。

尚、本リリースに記載されている医療用医薬品 (開発品を含む) の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではなく、投資家への情報開示を目的とするものであって、その製品化を保証するものではありません。

以上