



2019年6月20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 執行役員
氏 名 小島 修一
電 話 03-3264-3148

九州大学病院医師主導治験における 網膜色素変性治療製剤 (DVC1-0401) 1 症例目投与のお知らせ

当社の100%子会社である株式会社IDファーマ(以下、「IDファーマ」という)は、ベクターに治療用等の遺伝子を搭載する遺伝子導入ベクターに係る技術を保有しており、遺伝子治療製剤の開発を進めています。パイプラインの1つである網膜色素変性治療製剤(DVC1-0401)について、医師主導治験が進められている九州大学病院において1症例目の投与が実施されましたのでお知らせいたします。

記

1. 概要

IDファーマのパイプラインの1つである網膜色素変性治療製剤(DVC1-0401)については、九州大学病院にて医師主導治験(治験責任医師:眼科 池田康博)が進められており、このたび1症例目となる患者様への投与が実施されました。

網膜色素変性治療製剤は、レンチウイルスの一種であるサル免疫不全ウイルスベクター(※1)に治療用遺伝子を搭載した遺伝子治療製剤であり、眼科における遺伝子治療の治験としては、本治験が国内初めての試みとなります。本治験により安全性と有効性が確認されれば、患者様の失明防止に向けた大きな一歩になると考えています。

なお、本治験ではIDファーマが製造した治験製品が使用されております。

2. 本製剤開発の背景

(1) 対象疾患

網膜色素変性は、網膜に存在する光を感じる細胞が徐々に失われていく遺伝性の病気です。約5千人に1人の頻度で見られ、青年期より発症し、やがて失明に至る可能性があります。すでに約50種類の遺伝子異常が原因として明らかになっていますが、現在は有効な治療法がなく、厚生労働省から難病と指定されています。

(2) 本製剤の特色

本治療用ベクターは、IDファーマが九州大学と共同開発したものであり、同社が将来のバイオ医薬品候補として開発を進める国産ウイルスベクターです。遺伝子を運ぶためのベクターには、サル免疫不全ウイルスベクターが使用され、また、治療用遺伝子として神経細胞の脱落を防ぐ神経栄養因子(※2)であるヒト色素上皮由来因子(hPEDF)を使用しています。非臨床試験では光を感じる細胞の喪失を効果的に抑制することを確認しており、投与後5年の経過観察においても安全性に大きな問題がないことが明らかになっています。

3. 業績に与える影響

本件による2020年3月期の業績への影響は軽微であります。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

サル免疫不全ウイルスベクター（SIV：Simian Immuno-deficiency Virus Vector）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おり、遺伝子医薬品としての応用が期待されます。

※2. 神経栄養因子

神経栄養因子は、主に神経細胞を保護しその生存維持作用を有するタンパクの総称のことです。網膜色素変性に対しては、網膜色素上皮由来の神経栄養因子（PEDF）、肝実質細胞増殖因子（HGF）、脳由来神経栄養因子（BDNF）などが変性抑制効果を持つと報告されています。

以上