

2021年4月26日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社  
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀  
(コード番号：4582)  
問合せ先 IR担当 (TEL.03 - 5472 - 1125)

## 抗ウイルス薬 プリンシドフォビル注射剤 (brincidofovir) 米国食品医薬品局 (FDA) によりファスト・トラックに指定

シンバイオ製薬株式会社(本社：東京都、以下「シンバイオ」)は、この度、抗ウイルス薬プリンシドフォビル注射剤(以下「BCV IV」)が小児のアデノウイルス感染症(以下「AdV感染症」)を対象とした開発プログラムに対し、米国食品医薬品局(FDA)からファスト・トラック(Fast track)指定を受けたことをお知らせします。

FDAのファスト・トラック指定制度は、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新薬をFDAが優先的に審査する制度で、開発から審査までの迅速化を目的としています。この指定を受けることで、臨床試験に関する相談などFDAと協議する機会をより多く与えられ、さらに、臨床試験で有効性、安全性に関する結果が示されれば、審査期間が短縮される優先審査などによる迅速な承認を得ることが可能になります。

シンバイオは、「空白の治療領域」でアンメットメディカルニーズの高い播種性アデノウイルス(AdV)感染症及び免疫不全状態でのアデノウイルス(AdV)感染症を対象に、米国及び英国を中心とした国際共同第2相臨床試験(フェーズ2a)を開始しております。本試験により、小児に対する適切な用法用量を確認し、承認申請に向けて次のフェーズとなるグローバル試験を行う予定です。

本剤が持つ各種二本鎖DNAウイルス<sup>(注)</sup>に対する幅広い抗ウイルス活性は造血幹細胞移植後など免疫不全状態での各種ウイルス感染症の予防及び治療に有効と考えており、本試験の進展により得られた有効性と安全性に関する知見に基づき、造血幹細胞移植後のマルチウイルス感染症<sup>(注)</sup>へ対象領域を拡大、更には腎臓移植を含む臓器移植分野等の対象領域拡大の可能性を追求することで、市場の拡大、BCV IVの事業価値の最大化を図ってまいります。

吉田文紀社長兼CEOは「造血幹細胞移植後のAdv感染症は有効な治療方法がないため新薬が切望されている疾患領域です。まずは極めて医療ニーズが高い小児のAdV感染症を対象として国際試験を開始いたしました。この度のFDAによるFast track指定により審査の迅速化が可能となり、一日も早く患者さんにお届けできるよう社員一丸となり開発を進めてまいります。」と語っています。

なお、本件が2021年12月期業績に与える影響はありません。

以上

## 【注記】

### （注1）造血幹細胞移植と感染症

造血幹細胞移植は、白血病や悪性リンパ腫など、多くの血液がん治療で、抗がん剤治療や放射線治療だけでは治せない場合に、完治を目的に行うもので、ドナーから提供された、あるいは事前に保存しておいた患者さん自身の造血幹細胞を移植する。造血幹細胞移植の前には、ドナーからの新たな幹細胞を拒絶しないように、大量の化学療法と、全身放射線照射で、がん細胞を死滅させるが、同時に患者さん自身の免疫力も失われてしまう。次に点滴により、造血幹細胞移植を行うが、移植した造血幹細胞が患者さんの骨髄で血液を作り出すには2週間から4週間程度の期間が必要である。移植後、免疫力が十分回復するには、長い時間がかかるが、特に移植直後は免疫力が著しく低下しているため、様々な感染症にかかりやすい状態となっており、予防投与できれば合併症も減り生存率も高くなる。造血幹細胞移植後の様々な感染症は未だ有効な治療法が確立されていない「空白の治療領域」であり、医療現場においては、長年にわたり有効性と安全性を兼ね備えた治療方法が切望されている。

### （注2）二本鎖DNAウイルス：

サイトメガロウイルス（CMV）、アデノウイルス（AdV）、ヒトヘルペスウイルス6型（HHV-6）、単純ヘルペスウイルス-1型又は2型（HSV-1/2）、BKウイルス（BKV）、水痘帯状疱疹ウイルス（VZV）、ヒトパピローマウイルス（HPV）、JCウイルス、天然痘ウイルスなど、ヘルペスウイルス科、アデノウイルス科、ポリオーマウイルス科、パピローマウイルス科、ポックスウイルス科を含む。

## 【抗ウイルス薬ブリンシドフォビル（brincidofovir：BCV）概要】

BCVはシドフォビル（cidofovir：CDV、欧米では既承認・販売の抗ウイルス薬、本邦は未承認）の脂質結合体として新しい作用機序を持ち、CDVと比べて高活性の抗ウイルス効果の他、優れた安全性を併せ持つことから、広範囲のDNAウイルス感染症（CMV：サイトメガロウイルス、AdV：アデノウイルス、HV：ヘルペスウイルス、BKV：BKウイルス、パピローマウイルス及び天然痘ウイルス等）に対して有効な治療方法となり得るものと期待されている。BCV分子の画期性は、CDVに特定の長さの脂肪鎖を結合することにより細胞内への取り込み効率を飛躍的に向上させ、細胞内で直接作用する分子に変換され高い抗ウイルス効果を発揮する。更には、CDVの深刻な副作用である腎毒性を回避できるため使い易く、今までにない新規の高活性の抗マルチウイルス薬である。

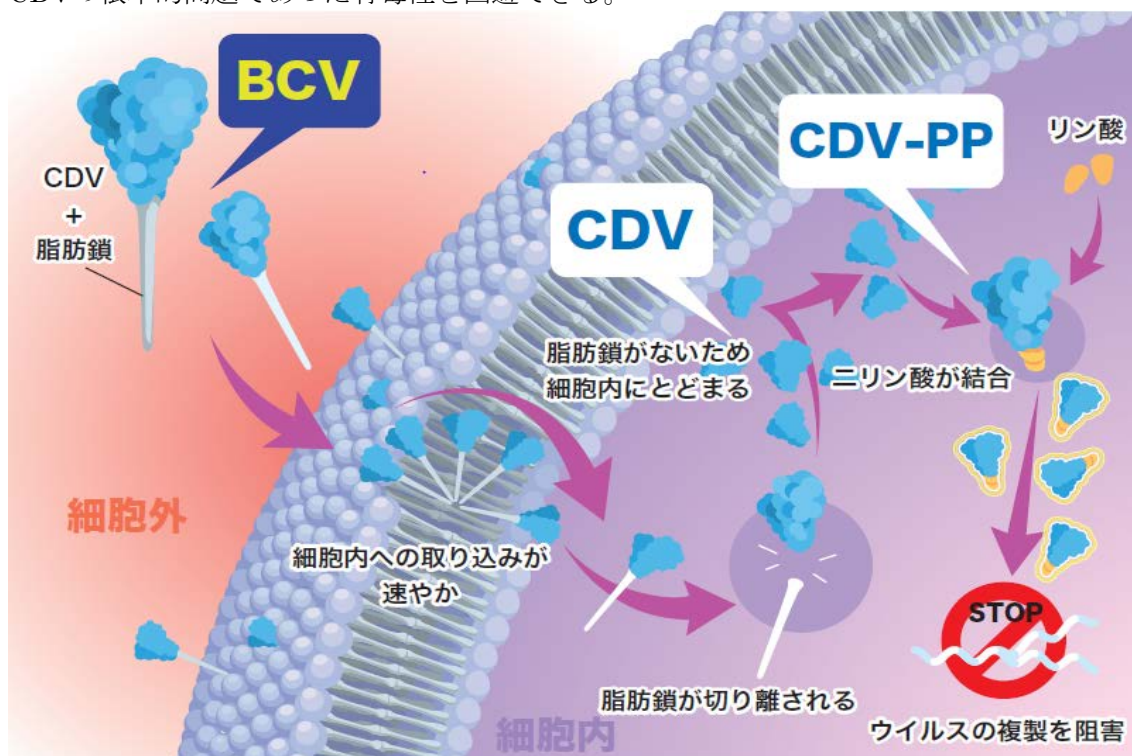
シンバイオは2019年9月30日付で、Chimerix Inc.（本社：米国ノースカロライナ州、「キメリックス社」）との間で、BCVに関するグローバルライセンスの権利取得を目的としてライセンス契約を締結し、本契約の締結により、キメリックス社は天然痘疾患を除いたすべての疾患を対象として、BCVの開発・販売・製造を含めた独占的権利を、世界全域を対象として、シンバイオに対して供与した。シンバイオはBCVの独占的グローバルライセンスを取得することにより、事業のグローバル化を推し進めると同時に高品質の医薬品供給のための一貫体制を確立し、スペシャルティファーマとして成長することを目指している。グローバル事業の展開については対象疾患の地域特性を生かしたパートナーシップも視野に入れて検討中であり、日本だけでなく臓器移植の市場規模が大きい欧米市場及び中国市場を含めたアジア地域を睨み、本剤を必要とする患者さんに一日も早く提供できるよう、事業価値の最大化を図っている。

当ライセンス契約の締結については2019年10月1日のプレスリリースを参照ください。

<https://www.symbiopharma.com/news/20191001.pdf>

【布林シドフォビル (brincidofovir : BCV) 分子の画期性】

BCVは、シドフォビル (CDV) に脂肪鎖 (ヘキサデシルオキシプロピル : HDP) が結合した構造となっており、速やかに脂質二重膜へ取り込まれ効率よく細胞内へ移行した後、細胞内ホスホリパーゼによる代謝によって脂肪鎖が切り離され、生成された活性化体 (CDV-PP:CDV diphosphate) が細胞内で長時間保持される結果、抗ウイルス活性が飛躍的に向上した化合物である。また、HDP結合により、OAT-1トランスポーターによる腎尿細管上皮細胞への蓄積が生じないことに加え、CDVが血中に遊離するレベルは低いため、CDVの根本的問題であった腎毒性を回避できる。



【Chimerix Inc. (キメリックス社) 概要】

米国ノースカロライナ州に拠点を置き、NASDAQ上場 (CMRX)。がんや他の重篤な疾患の患者さんの生活向上に貢献する革新的な医薬品の開発を行うバイオ医薬品企業で、最も臨床試験の進んだパイプラインはBCV、ONC201、DSTATの3つである。BCVは潜在的な天然痘の医療用対策として開発された抗ウイルス薬であり、米国で承認審査中である。ONC201は、再発性H3 K27M変異グリオーマに対する登録臨床試験中であり、今年後半には確認試験における奏効率の評価が期待される。DSTATは、急性骨髄性白血病における潜在的な一次治療として、また入院中の新型コロナ (COVID - 19) 患者に対する急性肺障害の潜在的治療として開発中である。キメリックス社の詳細については同社ウェブサイト (<https://www.chimerix.com/>) をご覧ください。

【当会社概要】

シンバイオ製薬株式会社は、米国アムジェン社元副社長で、旧アムジェン株式会社の実質的な創業者である吉田文紀が2005年3月に設立した医薬品企業です。経営理念は「共創・共生」(共に創り、共に生きる)で表され、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」の経営理念で結び、満たされない医療ニーズに応じてゆくことにより、社会的責任及び経営責任を果たすことを事業目的としています。なお、2016年5月に米国完全子会社 SymBio Pharma USA, Inc. (本社：米国カリフォルニア州 メンローパーク、社長：吉田文紀) を設立しました。