

**MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG**

2020年9月10日

報道関係各位

ノバルティス ファーマ株式会社

この資料は、ノバルティス（スイス・バーゼル）が2020年9月2日（現地時間）に発表したプレスリリースを日本語に翻訳・要約したもので、参考資料として提供するものです。資料の内容および解釈については英語が優先されます。英語版は <https://www.novartis.com> をご参照ください。

## **ノバルティス、米国 AveXis 社の名称を Novartis Gene Therapies に変更 企業戦略における遺伝子治療の重要性を反映**

ノバルティスはこのほど、2018年に買収した米国 AveXis社の名称を Novartis Gene Therapies に変更します。この変更は、先進的な治療プラットフォームを有する製薬企業を目指すノバルティスの取組みにおいて、遺伝子治療の重要性が高まっていることを反映したものです。

Novartis Gene Therapiesは、ゾルゲンスマ®（一般名：オナセムノゲン アベパルボベグ、以下「ゾルゲンスマ」）に続き、アデノ随伴ウイルスベクターによる革新的な遺伝子治療法の研究、開発、製造、上市に取り組みます。また、ノバルティスの他の部門で実施されている遺伝子治療において製造面での支援も行います。Novartis Gene Therapiesのプレジデントには、AveXis社でこれまでプレジデントを務めたデブ・レノン（Dave Lennon）が就任し、ノバルティスCEOのヴァス・ナラシンハン（Vas Narasimhan）の統括下に入ります。

ノバルティスのCEOであるヴァス・ナラシンハン（Vas Narasimhan）は次のように述べています。「ノバルティスは遺伝子治療に大きな可能性を見いだしており、多くの人が多大な恩恵を受けてきたと自負しています。Novartis Gene Therapiesの創設により、今後も稀少遺伝子疾患向けの遺伝子治療のパイプラインを充実させ、アンメットニーズの高い分野において変革に対応するイノベーションを促進していきたいと考えています。そして、世界中の患者さんのために新しい発想でこれからの医薬品と医療の未来を築いてまいります。」

2018年5月の買収以来、AveXis社は臨床試験段階から製品の上市を果たす組織にまで成長しました。世界で最も広く使用されている遺伝子治療法であるゾルゲンスマは、遺伝性疾患による乳幼児の主な死亡原因である脊髄性筋萎縮症（SMA）の治療薬です。最も高頻度にみられるタイプの場合、治療しなければ患者さんの90%以上が2歳になる前に死亡あるいは人工呼吸器が永続的に必要な状態になります。

ゾルゲンスマは米国、日本、欧州、ブラジルで承認されており、現在までに治験、治療、マネージド・アクセスプログラムを通じて600人以上の患者さんがゾルゲンスマによる治療を受けてこられました。Novartis Gene Therapiesは30カ国近くでのゾルゲンスマの承認取得を目指しており、2020年後半から2021年初頭にかけてス

イス、カナダ、オーストラリア、アルゼンチン、韓国の規制当局の承認を予定しています。

ゾルゲンスマを世界的に提供すべく組織を拡大すると同時に、レット症候群、遺伝型の筋萎縮性側索硬化症（ALS）、フリードライヒ運動失調症の治験中治療を含む、アデノ随伴ウイルスベクターを用いた稀少遺伝性疾患の遺伝子治療の強固なパイプラインを有しており、Novartis Gene Therapies への名称変更は自然な流れと言えます。今後は、市場によって AveXis 社とノバルティスの 2 つのブランドを使い分けるのではなく一つのブランドのもとで、ゾルゲンスマとこれから開発される遺伝子治療が世界中の患者さんに提供されることとなります。

Novartis Gene Therapies のプレジデント、デイブ・レノン（Dave Lennon）は、「患者さんとそのご家族が、私たちの活動の源泉となっています。Novartis Gene Therapies という一つのブランドのもと、稀少遺伝性疾患に苦しむ人々に、人生の様々な局面で治療選択肢をお届けすべく、弊社のチームは活動していきます。Novartis Gene Therapies は、ノバルティスおよび業界リーダーとしての未来における遺伝子治療の進展の重要性を象徴するものです」と述べています。

Novartis Gene Therapies は、米国のイリノイ州、ノースカロライナ州、コロラド州、カリフォルニア州、スイスのチューリッヒ、東京に、オフィスや事業部門、製造、研究の拠点を置き、計 2,000 人以上の社員を擁しています。Novartis Gene Therapies についての詳しい情報は以下のサイトをご覧ください。

<https://www.novartis.com/our-company/novartis-pharmaceuticals/novartis-gene-therapies>

### 免責事項

本リリースには、現時点における将来の予想と期待が含まれています。したがって、その内容に関して、また、将来の結果については、不確実な要素や予見できないリスクなどにより、現在の予想と異なる場合があることをご了解ください。なお、詳細につきましては、ノバルティスが米国証券取引委員会に届けております Form20-F をご参照ください。

### ノバルティスについて

ノバルティスは、より充実したすこやかな毎日のために、これからの医薬品と医療の未来を描いています。私たちは、医薬品のグローバルリーディングカンパニーとして、革新的な科学とデジタルテクノロジーを駆使し、医療ニーズの高い領域で変革をもたらす治療法の開発を行っており、新薬開発のために、常に世界トップクラスの研究開発費を投資しています。ノバルティスの製品は、世界中の 8 億人以上の患者さんに届けられています。また、私たちは、ノバルティスの最新の治療法に多くの人々がアクセスできるように革新的な方法を追求しています。約 11 万人の社員が世界中のノバルティスで働いており、その国籍は約 145 カ国に及びます。詳細はホームページをご覧ください。 <https://www.novartis.com>

以上