

MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG

2022年1月26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2021年12月22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、報道関係者の皆様に対する参考資料として提供するものです。本剤について日本国内では未承認です。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、英 Gyroscope Therapeutics 社を買収 視力喪失の主な原因である地図状萎縮を伴う加齢黄斑変性の治療に 革新が期待される単回投与の遺伝子治療を自社ポートフォリオに追加

- 現在、最大 800 万人と推定される地図状萎縮（GA）患者の疾患進行に対する治療法は存在しない^{1,2}
- Gyroscope Therapeutics 社の買収により、現在、第 II 相臨床試験が進行中の GA 患者を対象とした単回投与の遺伝子治療 GT005 がノバルティスのポートフォリオに追加
- 広幅な GA 患者集団に対して持続的な有効性が期待される初めての治療となる可能性
- Vedere Bio 社と Arctos Medical 社の買収に続き、この度の買収は、網膜疾患および遺伝子治療におけるノバルティスの重点領域を強化し、眼科領域における遺伝子治療および光遺伝学における地位の強化につながる

2021年12月22日、スイス・バーゼル発 — ノバルティスは2021年12月22日、英国を拠点とする眼科領域の遺伝子治療開発企業である Gyroscope Therapeutics 社のすべての発行済株式資本を買収する正式契約を締結したことを発表しました。

GA は、進行性で不可逆的な視力喪失をきたす萎縮型の加齢黄斑変性（AMD）が進行したものです¹。GA には承認された治療法がないことから、最もアンメット・ニーズの高い網膜疾患の一つです²。

GT005 は、AMD により引き起こされる GA に対して網膜下投与されるアデノ随伴ウイルス 2 型（AAV2）をベースにした単回投与の遺伝子治療です。GT005 は、免疫系の 1 つである補体系の補体因子 I（CFI）タンパク質の産生を増加させることで、過剰に活性化した補体系のバランスを回復することを目的としています。補体系の過剰な活性化は、健全な組織に悪影響をもたらす炎症を引き起こす可能性があり、AMD の発症および進行に相関するとされています³。CFI タンパク質は補体系の活動を調節、CFI タンパク質の産生増加により炎症を抑えることで、視力が維持されることが期待されます。

AMDにより引き起こされる GA の治療法としての GT005 の安全性および有効性については、一つの第 I/II 相臨床試験および二つの第 II 相臨床試験において現在評価が進められています^{4,5,6}。GT005 は、GA 患者の治療法として米国食品医薬品局から優先審査指定を受けています。

Gyroscope 社は、他にも網膜疾患を対象とした早期創薬段階のパイプラインを有しています。

ノバルティス ファーマのプレジデントである Marie-France Tschudin は次のように述べています。「ノバルティスは、眼科領域における遺伝子治療に関して先駆的な研究を進めており、これまでも、米国を除く複数の国や地域において遺伝性網膜ジストロフィー患者さんに LTW888 をお届けした実績があります。私たちは、眼科領域における遺伝子治療の研究開発において知見を蓄積しており、この有望な単回投与治療の開発を進展させることができると確信しています。このたびの買収は、眼科領域におけるイノベーションを追求し、世界中で視力喪失の治療と予防に注力するという私たちのコミットメントにおけるさらなる前進となります。」

ノバルティスは 8 億ドルを前払いする予定で、マイルストーンに応じて追加で最大 7 億ドルを支払う可能性があります。本件取引は、規制当局による承認を含む慣習的な買収条件を満たした後に終了します。取引終了までは、ノバルティスと Gyroscope Therapeutics 社は引き続き独立した個々の企業として運営されます。

地図状萎縮 (GA) について

萎縮型 AMD は、55 歳以上の人における永続的な視力喪失の主な原因であり、本疾患の診断を受けることは患者さんにとって過酷なものです^{2,7}。萎縮型 AMD が進行すると網膜細胞の不可逆的な変性である GA を来し、中心視力の喪失が徐々に進み、最終的に視力が永続的に失われます。この疾患は、運転や読書のみならず、人の顔の認識に至るまで、日常生活に深刻な影響をおよぼす可能性があります⁷。

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方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 140 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

参考文献

1. Schmitz-Valckenberg S, et al. Natural History of Geographic Atrophy Progression Secondary to Age-Related Macular Degeneration (Geographic Atrophy Progression Study) *Ophthalmology* 2016;123:361-368.
2. National Institute of Health. "Age-Related Macular Degeneration". Accessed December 2021. <https://www.nei.nih.gov/learn-about-eye-health/eye-conditions-and-diseases/age-related-macular-degeneration>.
3. Holz FG, et al. Geographic Atrophy: Clinical Features and Potential Therapeutic Approaches. *Ophthalmology* 2014;121(5):1079-1091.
4. U.S. National Library of Medicine. "EXPLORE: A Phase II Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Two Doses of GT005 (EXPLORE)". Accessed December 2021. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04437368?term=geographic+atrophy%2C+GT005&cond=Macular+Degeneration&draw=2&rank=1#contacts>
5. U.S. National Library of Medicine. "HORIZON: A Phase II Study to Evaluate the Safety and Efficacy of Two Doses of GT005". Accessed December 2021. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04566445?term=GT005&draw=2>
6. U.S. National Library of Medicine. "Focus: First in Human Study to Evaluate the Safety and Efficacy of GT005 Administered in Subjects With Dry AMD". Accessed December 2021. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03846193?term=FOCUS&cond=Geographic+Atrophy&draw=2&rank=1>
7. American Macular Degeneration Foundation. "Macular Degeneration". Accessed December 2021. <https://www.macular.org/what-macular-degeneration>.