



2024年11月13日

各位

日本新薬株式会社
Atsena Therapeutics, Inc.

「ATSN-101」の日本および米国における独占的ライセンス契約締結のお知らせ

日本新薬株式会社（本社：京都市南区、代表取締役社長：中井 亨、以下「当社」）と Atsena Therapeutics, Inc.（本社：米国ノースカロライナ州ダーラム、最高経営責任者（CEO）：Patrick Ritschel、以下「Atsena社」）は、本日、レーバー先天性黒内障1型（以下「LCA1」）を含む両アレル性 *GUCY2D* 遺伝子変異による遺伝性網膜ジストロフィーに対する遺伝子治療剤 ATSN-101（以下「本剤」）の米国における商業化、および日本における開発・商業化に関する独占的なライセンス契約を締結したことをお知らせします。

この契約に基づき、当社は米国および日本における本剤の独占的販売権を取得し、Atsena社は米国と日本以外の全世界における販売権を保持します。なお、米国では当社の米国子会社である NS Pharma, Inc.（ニュージャージー州パラマス、社長：杉山 幸輝）が販売・販促を実施します。

Atsena社は、契約一時金、マイルストーン、売上高に応じたロイヤリティに加え、今後の検証的試験を含め、本剤の開発に係る費用を当社から受け取ります。

本剤は、LCA1に対するファースト・イン・クラスの遺伝子治療剤であり、米国食品医薬品局（FDA）より、希少小児疾患指定、再生医療先進治療指定、希少疾病用医薬品指定を受けています。本剤が承認された場合、希少小児疾患指定制度に基づくFDAの優先審査バウチャーの権利は、Atsena社が保有します。

当社社長の中井 亨は「本剤は、現在治療薬が存在しない LCA1 の治療に大いに貢献できるものと考えます。この新しい眼科遺伝子治療剤、およびその画期的な技術を有する Atsena社と協力できる機会に恵まれたことを大変うれしく思います。」と述べています。

Atsena社 CEO の Patrick Ritschel は「今回の提携は、本剤の開発を加速させる道筋を作るものであり、Atsena社の先駆的な技術と開発力を証明するものです。本剤が、私たちの保有する多くの眼科遺伝子治療剤ポートフォリオにおける最初の上市品となることを期待しています。日本新薬と協力し、本剤を検証的試験へと進め、世界中の LCA1 に苦しむ患者さんやそのご家族に革新的な治療薬を提供できることを楽しみにしています。」と述べています。

***GUCY2D* 遺伝子変異型レーバー先天性黒内障（LCA1）について**

LCA1 は、*GUCY2D* 遺伝子の変異により発症し、早期に重度の視力障害または失明をきたす遺伝性網膜疾患です。LCA1 は最も一般的な LCA のひとつであり、根本的な治療法はありません。

ATSN-101 について

ATSN-101 は、網膜下に投与するアデノ随伴ウイルス（AAV）5 遺伝子治療剤であり、現在米国において、Atsena 社が LCA1 患者を対象とした第 I/II 相臨床試験を実施中です。ATSN-101 は、投与後 12 カ月の時点で、高用量群において持続的かつ臨床的に意義のある視力の改善と良好な忍容性を示しています。この臨床試験の結果は、本年 9 月に Lancet 誌に掲載されました。

希少小児疾患指定について

希少小児疾患指定は、18 歳までに発症し、米国での患者数が 20 万人未満の希少疾病に対する新薬の開発を促進するために FDA が付与するものです。この指定を受けた開発品の製造販売が承認されると、別の開発品が FDA による優先審査の対象となる優先審査バウチャーの権利が付与されます。

再生医療先進治療指定について

再生医療先進治療指定は、米国における the 21st Century Cures Act に基づき、重篤な疾患に対して臨床試験で一定の効果が認められた開発中の再生医療先進治療を対象とする FDA の制度です。この指定を受けた企業には、その開発品について優先審査と迅速承認の機会が付与されます。

希少疾病用医薬品指定について

希少疾病用医薬品指定は、米国で 20 万人未満、または 20 万人以上に罹患しているが治療薬の開発・販売にかかる費用の回収が見込めない希少疾病・障害の安全かつ効果的な治療、診断、予防を目的とした希少疾病用医薬品および生物製剤に付与されます。希少疾病用医薬品の指定により、7 年間の排他的先発販売権が付与され、税制上の優遇措置も受けることができます。

日本新薬について

日本新薬は、経営理念「人々の健康と豊かな生活創りに貢献する」のもと、病気でお困りの患者さんご家族にとって必要となる特長あるくすり創りを通して、社会から信頼される企業を目指しています。当社が取り扱っている製品等、詳細な情報については <https://www.nippon-shinyaku.co.jp/> をご覧ください。

Atsena Therapeutics, Inc. について

Atsena 社は、遺伝性網膜疾患による失明を回復または予防するためのベスト・イン・クラスの治療法開発を目指し、複数の遺伝子治療剤を開発しています。現在、小児失明の最も一般的な原因のひとつである LCA1 に対する ATSN-101 や X 連鎖性網膜癬痕症 (XLRS) を対象とした ATSN-201 の臨床試験が進行中です。Atsena 社の開発パイプラインは、遺伝性網膜疾患がもたらす障害を克服するために設計された新しい AAV 技術を基盤としています。詳細については、<https://atsenatx.com/> をご覧ください。

日本新薬の連絡先

e_mail_kouhou@po.nippon-shinyaku.co.jp

Atsena 社の連絡先

メディア： tplohoros@6degreespr.com

ビジネス： info@atsenatx.com

以上