



平成 26 年 12 月 25 日

各 位

会 社 名 株式会社ジオネクスト
代表者名 代表取締役社長 浅井 克仁
(JASDAQ・コード 3777)
問合せ先 取締役経営企画管理本部長 成瀬 岳史
電話番号 03-5669-0112

遺伝子治療用ベクター製剤の新規製法開発（外部委託）開始のお知らせ

当社は平成 26 年 12 月 25 日開催の取締役会において、当社子会社の株式会社遺伝子治療研究所が国際的な技術優位性を確保するために、CNS（Central Nervous System：中枢神経系、パーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症、アルツハイマー病を含む）遺伝子治療用ベクター製剤の新規製法開発の一環として、先ずパーキンソン病用のベクター製剤開発を開始することを決議いたしましたので、下記のとおりお知らせいたします。

記

1. 当社事業における本件新規製法開発の位置づけ

当社はヘルスケア事業の一環として、平成 26 年 5 月に株式会社遺伝子治療研究所（以下、「遺伝子研」）を設立し、遺伝子治療の早期実用化に向けて国内外の大学や研究機関と共同研究を推進しております。この遺伝子研におきましては、今後、遺伝子治療用ベクター製剤の生産を自ら行い、薬事承認取得後は、ベクター製剤を医療用医薬品として販売するほか、国内外に遺伝子治療センターを展開し、難病等に対する遺伝子治療を自ら実施していくことを計画しております。

現状の治療用ベクター製剤の作製に要する時間は長く、また作製費用も高額ですが、新しい製造方法（バキュロ法：大きなタンク内で微生物に目的遺伝子を組み込んだウイルス・ベクターを大量に生産させる方法で、インフルエンザワクチン等を大量生産する最新技術）が実用化された場合には、その作製時間・費用を数十分の 1 から数百分の 1 とすることが可能であり、遺伝子治療の実現にはこうした効率の良い大量生産方法を確立することが必須であります。

2. 本件新規製法開発の背景

欧米においてアデノ随伴ウイルス（以下、「AAV」）を使用する遺伝子治療研究が始まっており、今後少なくとも CNS 領域の遺伝子治療におきましては、AAV が遺伝子導入の主要な方法になることが想定されます。遺伝子研の遺伝子治療は、神経細胞選択的に安全かつ効率的に遺伝子導入を行うことが可能な、特殊な AAV の技術（特許出願中の学校法人自治医科大学との間で特許使用契約済み）を基盤としております。ALS（筋萎縮性側索硬化症）やアルツハイマー病等の神経性疾患の遺伝子治療では、脳や脊髄から可能な限り多くの神経細胞に遺伝子を導入することが望まれており、この技術の潜在的優位性が必須と思われれます。

特にパーキンソン病用のベクター製剤に関しては、世界的な競合企業である UniQure 社（本社：オランダ）、Voyager Therapeutics 社（本社：米国）でも AAV の新規製法開発（バキュロ法）に取り掛かっており、技術優位性を確かなものにするためには、遺伝子研でも新規製法開発を急ぐ必要があります。

今後は、現在実施中の共同研究並びに本件の新規製法開発と並行して、治験及び先進医療制度の適用申請の準備を進め、遺伝子治療の早期実施に向けた活動を行っていく予定であります。

3. 外部委託の概要

新規製法開発主体	株式会社遺伝子治療研究所
開発委託先	タカラバイオ株式会社(東証マザーズ・コード4974)
委託内容	パーキンソン病に対する、遺伝子治療用 AAV ベクター製剤のバキュロ製造委託(第1工程)
開発期間	6ヶ月から9ヶ月間

4. 今後の見通し

本製法開発に伴う連結業績への影響は、将来的には一定の成果が見込まれるものと考えておりますが、現段階では軽微なものを見込んでおります。

以 上