



国立大学法人
東京医科歯科大学
TOKYO MEDICAL AND DENTAL UNIVERSITY

各位

2018年12月24日

レナセラピューティクス株式会社

国立大学法人 東京医科歯科大学

米国アイオニス・ファーマシューティカルズ社との
ヘテロ2本鎖核酸特許の非独占的ライセンス実施許諾契約合意のお知らせ

東京医科歯科大学認定バイオベンチャーのレナセラピューティクス株式会社（代表取締役社長 佐々木 潤、本社：東京都千代田区、以下、「レナセラピューティクス」）は、米国アイオニス・ファーマシューティカルズ社（代表取締役会長&CEO スタンリー・T・クロック博士、IONIS PHARMACEUTICALS, INC., Carlsbad, California, U.S.A.、以下、「アイオニス」）との間で、ヘテロ2本鎖核酸（Heteroduplex Oligonucleotide、以下、「HDO」）を使用する核酸医薬の研究開発、製造及び販売に関する非独占的ライセンス契約を締結しましたので、お知らせいたします。

アイオニスは、RNA 標的治療薬の創薬と開発の世界的リーダーであり、他の治療方法が有効でないと証明されている疾患を治療する可能性のある効率的かつ広く適用可能な独自のアンチセンス技術プラットフォームを開発しました。アイオニスは、その斬新な技術を使用して、脊髄性筋萎縮症（SMA）の治療薬として世界で初めて承認された SPINRAZA®（nusinersen）*と、多発性神経障害が起こる成人遺伝性トランスサイレチン（TTR）アミロイドーシス（ATTR）の治療薬として世界で初めて承認された RNA 標的治療薬 TEGSEDI™（inotersen）の創薬開発を成功させました。アイオニスは、神経疾患、感染症、希少疾患および癌を治療する可能性のある 40 以上の医薬品パイプラインを保有しています。そのうち循環器疾患、ハンチントン病、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療を含むいくつかのファーストインクラス若しくはベストインクラスの治療薬は、重要な臨床第 III 相試験(pivotal trial)に近づいています。

レナセラピューティクスは、アイオニスとの合意により HDO を用いた新規な核酸医薬品の研究開発が加速されることを期待しています。

本契約締結に伴い、レナセラピューティクスはアイオニスからライセンス料を受領します（金額は非公開）。また今後、HDO を用いた核酸医薬の開発及び商業販売の進捗状況に基づいて目標達成報奨金（マイルストーンフィー）及びロイヤリティーを受け取ります。

特定の遺伝子を制御して治療する目的の核酸医薬にアンチセンス核酸（Antisense Oligonucleotide, 以下、「ASO」）、siRNA（Short-interfering RNA）があります。HDO は、これら ASO、siRNA といった核酸医薬プラットフォームとは異なる新しい分子構造・作用

機序を有する第3の核酸医薬プラットフォームです。

レナセラピューティクスは、第3の核酸医薬プラットフォームを使用する核酸医薬の創製を実現し、一日でも早く患者様に革新的な医薬品をお届けするという方針を共有できる企業との連携を重視しています。本契約締結は、レナセラピューティクスの方針と合致しています。

【レナセラピューティクスについて】

レナセラピューティクスは、東京医科歯科大学の横田隆徳教授らが発明した HDO をコア技術として、核酸医薬品開発に必要な基盤技術を製薬企業に提供することを特徴とした、東京医科歯科大学認定バイオベンチャーです。

核酸医薬品は、疾患部へのデリバリー、副作用および投与後の血中安定性等の課題が認識されていますが、その一方でこれまで低分子化合物や抗体等では治療薬の創出が難しかった疾患に対してもアプローチできるという点で有利です。

HDO は、活性本体として機能するアンチセンス鎖 (=アクティブ鎖) (二本鎖上部) と、疾患部位へアンチセンス鎖を運ぶためのリガンドを含むキャリアー鎖 (同下部) を組み合わせた構造を取り、このような構造にすることで、従来の一本鎖のアンチセンス核酸よりも目的の臓器でより効果的にアンチセンス効果を発揮することが期待できます。



レナセラピューティクスは、顧客に対して HDO 技術をプラットフォームとしたソリューションやサービスを提供し、対価を受領することをビジネスモデルとしています。

レナセラピューティクスは 2015 年 1 月に設立後、2 回の資金調達を行いました。これにより、HDO 技術を強化するとともに、既に大手製薬企業 2 社と有償の共同研究契約を締結し、今後も顧客となる製薬企業との契約数を増やし、事業基盤をより強固にしていまいります。

レナセラピューティクスは、癌や神経変性疾患、遺伝性疾患などの難病をはじめとしたアンメットメディカルニーズに応えるべく、核酸医薬品をいち早く患者様にお届けすることを目指してまいります。



国立大学法人
東京医科歯科大学
TOKYO MEDICAL AND DENTAL UNIVERSITY

註：*バイオジェン（Biogen）により上市された核酸医薬

レナセラピューティクス株式会社

設立：2015年1月

資本金：100百万円

代表者：代表取締役社長 佐々木 潤

所在地：東京都千代田区大手町 1-9-2

事業内容：核酸医薬にかかる創薬基盤技術の提供

会社 HP：http://www.renatherapeutics.com/index_j.html

【本件に関するお問合せ先】

レナセラピューティクス株式会社

管理部長 岩本 祥一

電話番号 (03) 4243-6081

お問合せ（メール）：info@renatherapeutics.com

【研究内容に関するお問い合わせ先】

東京医科歯科大学 医歯学総合研究科 脳神経病態学分野（神経内科）

教授 横田 隆徳（よこた たかのり）

電話番号 (03) 5803-5233

お問い合わせ（メール）：yokonuro@tmd.ac.jp

以上