

2024年3月25日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀
(コード番号：4582)
問合せ先 IR室 (TEL.03-5472-1125)

EUにおけるプリンシドフォビルのオーファンドラッグ指定取得のお知らせ

シンバイオ製薬株式会社（本社：東京都、以下「シンバイオ」）は、シンバイオの子会社であるSymBio Pharma Ireland Limited（本社：アイルランド ダブリン）の設立に伴い、エマージェント・バイオソリューションズ社から、EU（欧州連合）における免疫不全患者におけるアデノウイルス感染症とサイトメガロウイルス感染症予防に対するオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定が移管されましたことをお知らせいたします。

シンバイオは、米国において造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症を対象として実施中の第Ⅱ相臨床試験の終了後、欧米日英の関係当局との面談を経て、第Ⅲ相臨床試験の準備に入ります。第Ⅲ相臨床試験は欧米日英の四地域を中心とした国際共同臨床試験を計画しておりますが、本指定によりEUでは上市后 10 年間の排他的先発販売権が付与されます。

EUにおけるオーファンドラッグ指定（EMA（欧州医薬品庁）による指定）は、EU内で人口1万人あたり5人以下の患者数であり、生命に危険を及ぼし重篤な慢性疾患であること等がその指定要件となります。

SymBio Pharma Ireland Limited の概要

名 称	SymBio Pharma Ireland Limited (シンバイオ ファーマ アイルランド リミテッド)
所 在 地	アイルランド ダブリン
代 表 者	福島 隆章
設 立 日	2024年1月9日
株 主 構 成	シンバイオ製薬株式会社 100%
業 務 内 容	医薬品、医薬用機器の研究・開発

以 上

注記

【抗ウイルス薬プリンシドフォビル (brincidofovir : BCV) 概要】

BCVは米国では既承認のシドフォビル (CDV : cidofovir、本邦では未承認) の脂質結合体として新しい作用機序を有しています。CDV及び他の抗ウイルス薬と比べ、より低用量で広範囲の抗ウイルス効果を示すなど優れた特徴を併せもち、様々な2本鎖DNAウイルス (サイトメガロウイルス、アデノウイルス、エプスタイン・バーウイルス、ヘルペスウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス及びサル痘や天然痘ウイルスなど) に対して有効な治療方法となり得るものと期待されています。BCV分子の細胞内への取り込み効率が飛躍的に向上し、細胞内ではウイルスの複製阻害として作用するCDV-PP (CDV diphosphate) 分子に変換され高い抗ウイルス効果を発揮します。更には、CDVを初めとする他の抗ウイルス薬に比べ深刻な副作用である腎毒性または骨髄抑制を回避できる新規の高活性の抗マルチウイルス薬として期待されています。

2019年9月、シンバイオは、Chimerix, Inc. (キメリックス社、本社：米国ノースカロライナ州) との間で、天然痘やサル痘などのオルソポックスウイルスを除いたすべての疾患について世界全域を対象として、BCVに関する開発・販売・製造を含めた独占的権利の取得を目的とするライセンス契約を締結しました。

尚、錠剤および経口懸濁液 (経口剤) は、2021年6月4日に天然痘の治療薬として成人および新生児を含む小児の患者を対象にキメリックス社が承認を取得しています。

BCVは、高い抗ウイルス作用に加え、抗腫瘍効果も期待されており、現在、シンガポール国立がんセンター、カリフォルニア大学サンフランシスコ校などとの間で抗がん活性の確認及び抗ウイルス活性と合わせることによる相乗効果を確認するための共同研究を進めています。

臨床試験及び著名な研究機関との主な共同研究開発として下記を推進しています。

- ・造血幹細胞移植後のアデノウイルス感染症患者を対象とした第II相臨床試験を開始し (2021年3月)、FDAよりファスト・トラック指定 (2021年4月)。コホート3までのデータに基づき抗ウイルス効果のPOC (Proof of Concept) の確立を確認 (2023年5月)。
- ・カリフォルニア大学サンフランシスコ校脳神経外科脳腫瘍センターで難治性脳腫瘍に対するBCVの抗腫瘍効果を検討する非臨床試験を開始 (2021年9月)。
- ・EBウイルスの関連疾患であることが近年証明された難病の多発性硬化症について、米国国立衛生研究所 (NIH) に所属する米国国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) との間で、多発性硬化症の治療におけるBCVのEBウイルスに対する効果を検証し、今後の臨床試験の実施に向けて必要とされる情報を得ることを目的として共同研究開発契約 (CRADA : Cooperative Research and Development Agreement) を締結 (2023年3月)。
- ・EBウイルス関連リンパ増殖性疾患に対するBCVの有効性を評価することを目的とし、NIHに所属する米国国立アレルギー・感染症研究所 (NIAID) との間でCRADAを締結 (2023年4月)。
- ・アルツハイマー型認知症を含めた様々な脳神経領域の重篤性疾患に、潜伏しているウイ

ルスの再活性化による感染の関与についての研究がこの数年進んでおり、米国タフツ大学により確立されたヒト神経幹細胞を培養し脳組織を3次元に模倣した単純ヘルペスウイルス（HSV）感染・再活性化モデルを用いて、HSV感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約（Sponsored Research Agreement）を締結（2022年12月）。

【エマージェント・バイオソリューションズ社概要】

米国メリーランド州に拠点を置き、NYSEに上場（EBS）する製薬メーカー。革新的なワクチンと治療薬のパイプラインを通じて、公衆衛生上の脅威から身を守るための製品を開発、製造し、世界中に供給している。詳細については同社ウェブサイト（<https://www.emergentbiosolutions.com>）をご覧ください。

【当会社概要】

シンバイオ製薬株式会社は、米国アムジェン社元副社長で、旧アムジェン株式会社の実質的な創業者である吉田文紀が2005年3月に設立した医薬品企業です。経営理念は「共創・共生」（共に創り、共に生きる）で表され、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」の経営理念で結び、満たされない医療ニーズに応じてゆくことにより、社会的責任及び経営責任を果たすことを事業目的としています。なお、2016年5月に米国完全子会社 Symbio Pharma USA, Inc.（本社：米国ノースカロライナ州、代表者：ステファン・ベルティエ）を設立しました。