

報道関係者各位

# press release

## ノボ ノルディスク ファーマ株式会社

2021年7月21日

PRESS-21-25

本資料は、ノボ ノルディスク (デンマーク本社) が、7月12日に発表したプレスリリースを翻訳したもので、報道関係者の皆さまへ参考資料として提供するものです。内容や解釈については、正式言語である英語が優先されます。英文オリジナル版は、こちら ([novonordisk.com](http://novonordisk.com)) をご参照ください。

### Prothena 社とノボ ノルディスク、Prothena 社が保有する ATTR アミロイドーシスプログラムの買収契約を発表

- Prothena社は前金および直近の臨床マイルストーン一時金1億米ドルを含め、総額最大12億米ドルの開発および販売マイルストーン一時金を受け取ることが可能
- ノボ ノルディスクは心臓希少疾患であるATTR型心アミロイドーシスを対象とした、第2相試験準備中の抗体PRX004の開発を行う

アイルランド・ダブリン、デンマーク・バウスヴェア、2021年7月12日 —Prothena社とノボ ノルディスクは本日、両社が最終買収契約を締結したことを発表しました。本契約に基づき、ノボ ノルディスクは、Prothena社の保有する臨床段階の抗体PRX004およびより広範なATTRアミロイドーシスプログラムを買収しました。

PRX004はATTRアミロイドーシスの疾患病理に関連するアミロイド沈着を除去するよう設計された、第2相試験準備中の抗アミロイド抗体免疫療法薬です。

ATTRアミロイドーシスは進行性かつ致命的な希少疾患であり、臓器や組織、特に心臓および／または神経系にミスフォールドされたトランスサイレチンタンパクからなるアミロイドが異常沈着・蓄積することを特徴とします。

Prothena社は遺伝性ATTR患者を対象にしたPRX004の第1相試験を完了しており、その試験においてPRX004は安全かつ忍容性が高いことが確認されました。

ノボ ノルディスクは、ATTR型心アミロイドーシスに対するPRX004の臨床開発に取り組むこととなります。ATTR型心アミロイドーシスは、心臓組織におけるアミロイド沈着の蓄積を特徴とする、ATTRアミロイドーシスの中でも過少診断され、致命的となる可能性のある疾患です。

最終買収契約に基づき、ノボ ノルディスクはProthena社の100%子会社を取得するとともに、Prothena社が保有するATTRアミロイドーシスの事業およびパイプラインの知的財産および関連する権利に対する全世界におけるすべての権利を獲得します。Prothena社は、前金および直近の臨床マイルストーン一時金1億米ドルを含め、総額最大12億米ドルの開発および販売マイルストーンの支払いを受け取ります。

Prothena社のチーフ メディカル オフィサーであるヒデキ ギャレン医学博士は次のように述べています。「本日の発表は、新しい治療選択肢を緊急に必要としている患者さんのためによりよい未来を創造するという当社の取り組みと一致しています。ノボ ノルディスクは、心血管疾患を持つ患者さんのための治療法開発にお

ける広範な専門知識を活用し、この有望な治療をいち早く患者さんに届けるために開発を進めてくれることを私たちは確信しています。ATTR型心アミロイドーシスに対するPRX004のさらなる開発に向けたノボ ノルディスクの取り組みとともに、当社は末梢器官に蓄積するアミロイドによる希少疾患および神経変性疾患に取り組むための確固たるポートフォリオを前進させるという当社のミッションに引き続き注力していく所存です。PRX004の第1相試験に参加いただいた患者さんと治験責任医師の皆様に心から御礼申し上げます。」

ノボ ノルディスクの研究・早期開発担当部門 エグゼクティブ バイス プレジデント兼チーフサイエンス オフィサーであるマーカス シンドラーは次のように述べています。「PRX004は、その革新的なアミロイド除去メカニズムにより、致命的な疾患であり、大きなアンメットメディカルニーズのあるATTR型心アミロイドーシスの新たな治療選択肢を提供する可能性を秘めています。本買収は、Prothena社のATTRアミロイドーシスにおける先駆的な研究と、世界中で主要な死亡原因となっている心血管疾患患者さんのために新たな疾患修飾療法を前進させるというノボ ノルディスクの献身の証と言えるでしょう。」

### PRX004について

PRX004は、遺伝性アミロイドーシス (hATTR) および野生型ATTRアミロイドーシス (wtATTR) の病状に関連するアミロイドを、本来の正常な4量体トランスサイレチンタンパクに影響を与えることなく除去するよう設計された、臨床開発段階のヒトモノクローナル抗体です。一般に、診断時にはATTR患者の患部の臓器に細胞外のアミロイドが沈着しており、臓器の機能障害を引き起こしていると考えられています。PRX004は前臨床試験において、抗体を介した貪食作用によって不溶性のアミロイド線維の除去を促進し、アミロイド形成を阻害することが示されています。この除去の作用機序は、生命維持に不可欠な臓器へのアミロイド沈着による早期死亡リスクが高いATTR患者さんにベネフィットを提供する可能性があります。

Prothena社は非盲検、多施設共同、用量漸増、第1相試験 (NCT03336580) を完了しました。遺伝性ATTRアミロイドーシス (hATTR) 患者21例が組み入れられ、試験の用量漸増期にPRX004を28日毎に最大3回、静脈内投与されました。患者はPRX004の6用量コホート (0.1、0.3、1、3、10および30 mg/kg) のいずれか1つに組み入れられました。用量漸増期を完了した適格患者には、試験の長期投与期 (LTE) に組み入れられる機会が与えられました。第1相試験に組み入れられた全21例が、用量漸増期を完了し、17例がLTEに組み入れられました。PRX004はすべての用量で安全で忍容性が高いことがわかりました。

### Prothena 社について

Prothena 社は臨床開発後期段階の薬剤を持つ企業であり、末梢器官に蓄積するアミロイドによる希少疾患および神経変性疾患の経過を変える可能性のある、タンパク質制御異常に関する専門知識に基づいた新規治療薬の強力なパイプラインを有しています。同社は、数十年にわたる研究から得た深い科学的知見による下支えとともに神経機能障害やミスフォールドタンパク質の生物学に関する科学的知見を統合する能力を活用し、多くの適応症および新たなターゲットの治療候補となるパイプラインを推し進めています。同社のパイプラインには、ALアミロイドーシス、アルツハイマー病、パーキンソン病およびその他多くの神経変性疾患を含む、疾患の潜在的治療のために開発中の100%子会社のプログラムと提携企業のプログラム双方が含まれます。詳細は、Prothena 社のウェブサイト ([www.prothena.com](http://www.prothena.com)) をご覧いただくか、Twitter @ProthenaCorp をフォローしてください。

### ノボ ノルディスクについて

ノボ ノルディスクは、1923 年創立のデンマークを本拠とする世界有数のヘルスケア企業です。私たちのパーパスは、変革を推進し、糖尿病および肥満症、血液系希少疾患、内分泌系希少疾患などのその他の深刻な慢性疾患を克服することです。その目的達成に向け、科学的革新を見出し、医薬品へのアクセスを拡大するとともに、病気の予防ならびに最終的には根治を目指して取り組んでいます。ノボ ノルディスクは現在 80 カ国に約 4 万 5,800 人の社員を擁し、製品は約 170 カ国で販売されています。日本法人のノボ ノルディスク ファーマ株式会社は 1980 年に設立されました。詳細はウェブサイトをご覧ください。 ([www.novonordisk.co.jp](http://www.novonordisk.co.jp))