

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

2023 年 6 月 1 日
PRESS-23-12

本資料は、ノボ ノルディスク (デンマーク本社) が、5 月 24 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 \(novonordisk.com\)](https://www.novonordisk.com) をご参照ください。

ノボ ノルディスクとライフ・エディット・セラピューティクス、希少疾患および心代謝性疾患における遺伝子治療の創生・開発を目指し、複数のターゲットを対象にした共同研究で提携

ライフ・エディット社は前払い一時金を受け取り、全世界の売上高に応じた段階的ロイヤリティに加え、7つの開発プログラムの各マイルストーンにつき2億5,000万から3億3,500万米ドルの支払いを受け取る権利を有します。

ライフ・エディット社は1つのプログラムで世界での利益分配のオプションを保有します。

ノボ ノルディスクはライフ・エディット社の親会社であるエレベートバイオ社の4億100万米ドルのシリーズD資金調達の一環として、エレベートバイオ社にも株式投資を行います。

デンマーク・パウスヴェア、米国・ノースカロライナ州ダーハム、2023年5月24日ーノボ ノルディスクと次世代の遺伝子編集技術に取り組むエレベートバイオ社傘下のライフ・エディット・セラピューティクスは本日、選択した一連の治療標的に対する遺伝子治療を創生・開発するための共同研究開発における提携を結んだことを発表しました。

ノボ ノルディスクは、今後、塩基編集技術の向上に注力しながら、希少な遺伝性疾患およびより身近な心代謝性疾患におけるlife-changingな治療法を開発することを目的に、ゲノムを正確に編集するライフ・エディット社の遺伝子編集技術を活用していきます。

ノボ ノルディスクの研究・早期開発部門エグゼクティブバイス プレジデント 兼 チーフサイエンティフィック オフィサーであるマーカス シンドラー博士は次のように述べています。「ノボ ノルディスクは、深刻な慢性疾患とともに生きる人々に治癒をもたらす可能性がある治療選択肢をお届けするために、我々の全治療領域にわたって新たな可能性を切り拓くようなテクノロジープラットフォームを構築、活用することに継続的に取り組んでいます。ライフ・エディット社の遺伝子編集技術を活用して、複数の遺伝性疾患のための新規治療法を共同開発できる機会を非常にうれしく思います。」

塩基編集はDNAの2本鎖を切断することなく、1つのヌクレオチド塩基 (DNAの構成成分) を他のヌクレオチド塩基に変換する方法です。これはDNAの1本鎖のみを切断するように修飾されたヌクレアーゼとして知られる酵素と、ターゲットとするヌクレオチド塩基を編集するデアミナーゼとして知られるもう1つの酵素を結合させることで達成されます。この精密さはオフターゲット効果のリスクを低減させることを目的としており、これにより塩基編集を疾患関連の遺伝子変異を是正するための効果的な方法にします。

両社の提携により、最大7つのプログラム開発が可能になります。契約に基づき、ライフ・エディット社は前払い一時金を受け取り、最初の2つの各プログラムでは、製品の開発、承認申請等薬事およびコマーシャルのマイルストーン費用として、各プロジェクトにつき3億3,500万米ドルを受領し、それ以降の5つの各プログラムではそれぞれ最大2億5,000万米ドルを受領する権利を有します。ノボノルディスクはすべての研究・開発費を提供し、ライフ・エディット社は市販後の製品の売上高に応じて段階的ロイヤリティを受領する権利を有します。また、ライフ・エディット社は1つのプログラムにおいては全世界における利益分配のオプションを保有します。

さらに、ノボノルディスクはライフ・エディット社の親会社であるエレベートバイオ社の4億100万米ドルのシリーズD資金調達の一環として、エレベートバイオ社にも株式投資を行います。

ライフ・エディット社の最高経営責任者 兼 エレベートバイオ社の社長 兼 研究開発責任者であるミッチェル ファイナー博士は次のように述べています。「当社が次世代遺伝子編集プラットフォームと塩基編集技術においてこれまでに果たした進歩により、DNA編集を通じて疾患を治療するという次世代の最先端領域が切り拓かれています。ライフ・エディット社のプラットフォームと対象を問わず編集できる能力に、ノボノルディスクが誇る疾患病態やエンジニアリングに関する深い専門知識を組み合わせることで、世界で最も困難であるいくつかの遺伝性疾患に対する治療をもたらす可能性がある治療法を提供できる日が近づくことでしょう。」

ライフ・エディット社は、R&Dプラットフォーム技術とlife-changingな細胞・遺伝子治療の創生を強化するために構築されたエンドツーエンドプロセス開発やcGMPに沿った製造能力を統合したエレベートバイオ社のエコシステムの一部です。

ライフ・エディット社の遺伝子編集プラットフォームについて

ライフ・エディット社の遺伝子編集プラットフォームは、新規のRNA誘導型ヌクレアーゼ (RGN) および柔軟な編集とゲノムへの類を見ないアクセスを提供する塩基編集の世界最大級かつ最も多様なライブラリを保有します。ライフ・エディット社のヌクレアーゼコレクションはさまざまなプロトスペーサー隣接モチーフ (PAM)、すなわちヌクレアーゼが結合できるゲノム内のDNAセグメントを決定する短い配列を特徴としています。ライフ・エディット社が誇るヌクレアーゼのPAMコレクションの多様性によって、1つのヌクレアーゼで達成できる塩基配列の編集よりも多くの部位での編集と、より絞られた遺伝子変異を標的とすることが可能となり、ゲノムへの幅広いアクセスを提供します。

ライフ・エディット・セラピューティクスについて

エレベートバイオ社傘下のライフ・エディット・セラピューティクスは、新規のRNA誘導型ヌクレアーゼ (RGN) および塩基編集に関する世界最大級かつ最も多様なコレクションを保有する、次世代ゲノム編集技術を有する企業であり、極めて革新的なプラットフォームを構築してきました。ライフ・エディット社はこのプラットフォームを活用することで、いかなるゲノム配列も標的とすることが可能となり、細胞治療や再生医療のための生体外 (ex vivo) での細胞工学、ならびに遺伝子治療の生体内 (in vivo) でのデリバリーを実現し、最も治療が困難とされる遺伝性疾患に対する新規のヒト治療薬を開発できる可能性があります。ライフ・エディット社は、今後も細胞・遺伝子治療法の独自のパイプライン開発に加え、ゲノム編集酵素のプラットフォームを強化し続け、戦略的パートナーに遺伝子編集専門技術を提供し、新規治療法を発見・開発するために他の第三者と提携していきます。

詳細な情報は lifeditinc.com にアクセスするか、[LinkedIn](#) または [Twitter](#) でフォローしてください (英文)。

エレベートバイオについて

エレベートバイオ社は、現在および今後数十年にわたる革新的な細胞・遺伝子治療の開発に注力するために設立されたテクノロジー志向型企業です。エレベートバイオ社の統合されたテクノロジーモデルは、ターンキースケールとバイオテクノロジーを提供し、細胞・遺伝子治療のプロセス、プログラムおよび企業の能力を最大限に発揮できるよう強化します。エレベートバイオ社のエコシステムは、ライフ・エディット社の次世代のあらゆる領域の遺伝子編集プラットフォームおよび独自の人工多能性幹細胞 (iPS 細胞) プラットフォーム、RNA、細胞、タ



ンパク質およびベクター、細胞工学のプラットフォームといった複数の R&D テクノロジープラットフォームとエンドツーエンドの遺伝子医薬品の cGMP に則った製造とプロセス開発事業である BaseCamp®とを掛け合わせ、高度な治療法の発見・開発に注力しています。

エレベートバイオ社は、さまざまなバイオ医薬品企業が新規の細胞・遺伝子治療法を開発できるようにすることに加えて、細胞、遺伝子、再生医薬品の極めて革新的なパイプラインも構築しています。エレベートバイオ社は疾患を変化させるヒト細胞や遺伝子を活用した世界で最も優れた科学的進歩を遂げる原動力となることを目指します。詳細は www.elevate.bio にアクセスするか、[LinkedIn](#) または [Twitter](#) でフォローしてください (英文)。

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に本社を置く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、希少血液疾患、希少内分泌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 57,100 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)