平成 24 年 3 月 19 日

各　　位

会社名	タカラバイオ株式会社 （コード番号 4974　東証マザーズ）
本社所在地	滋賀県大津市瀬田三丁目４番１号
代表者	代表取締役社長　　仲 尾　功 一
問合せ先	代表取締役副社長　木 村　　睦
ＴＥＬ	（０７７）５４３-７２１２
ＵＲＬ	http://www.takara-bio.co.jp/
親会社等の名称	宝ホールディングス株式会社
代表者	代表取締役社長　　大 宮　　久 （コード番号 2531 東証、大証第 1 部）

エイズ遺伝子治療の臨床試験実施申請資料を米国食品医薬品局へ提出

タカラバイオ株式会社は、米国ペンシルベニア大学と共同で、HIV を対象とした MazF 遺伝子治療の第 I 相臨床試験を米国において実施するための臨床試験実施申請資料（IND; Investigational New Drug）を 2012 年 3 月 17 日付で米国食品医薬品局（FDA; Food and Drug Administration）に提出しましたのでお知らせいたします。

MazF 遺伝子治療は、大腸菌由来の RNA 分解酵素である MazF を利用した HIV 感染症に対する遺伝子治療法です。当社は MazF 遺伝子治療の米国における臨床試験実施を目指し、ペンシルベニア大学医学部のカール・ジューン（Carl June）教授らのグループと共同で IND 申請に向けた準備を進めてきましたが、非臨床試験、MazF レトロウイルスベクターの GMP 製造、遺伝子導入細胞の GMP 製造および申請資料の作成等の一連の準備作業が終了し、今回の申請を実施しました。

当社は今後、FDA による IND の審査、臨床試験実施施設の治験審査委員会（IRB; Institutional Review Board）による審査などを経て、MazF 遺伝子治療の第 I 相臨床試験を開始する計画です。

今回の IND 申請実施による当社連結及び単体の平成 24 年 3 月期業績への直接的な影響は軽微ですが、当社は MazF 遺伝子治療の商業化に向け、引き続き臨床開発を続けていきます。

【臨床試験概要(予定)】

治験依頼者	タカラバイオ株式会社/ペンシルベニア大学
対象患者	HIV-1 陽性の成人男女
評価項目	MazF 導入自己 CD4 陽性 T 細胞の安全性、忍容性及び免疫原性
患者数	12 名
試験期間	3 年間
実施施設	ドレクセル大学医学部 感染症/HIV 治療部門 クリニカルリサーチセンター(ペンシルベニア州) (治験責任医師: Jeffrey Jacobson, MD)

※本試験は、当社とペンシルベニア大学が共同の治験依頼者として実施し、患者の登録等が行われる臨床試験の実施施設はドレクセル大学医学部付属病院となる予定です。

当資料取り扱い上の注意点
当資料中の当社の現在の計画、見通し、戦略、確信などのうち、歴史的事実でないものは、将来の業績に関する見通しであり、これらは現時点において入手可能な情報から得られた当社経営陣の判断に基づくものですが、重大なリスクや不確実性を含んでいる情報から得られた多くの仮定および考えに基づきなされたものであります。実際の業績は、さまざまな要素によりこれら予測とは大きく異なる結果となり得ることをご承知おきください。実際の業績に影響を与える要素には、経済情勢、特に消費動向、為替レートの変動、法律・行政制度の変化、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社の既存製品および新製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的所有権に対する侵害、急速な技術革新、重大な訴訟における不利な判決等がありますが、業績に影響を与える要素はこれらに限定されるものではありません。

＜参考資料＞

【語句説明】

HIV（ヒト免疫不全ウイルス）

後天性免疫不全症候群（AIDS）の原因ウイルスです。HIV はレトロウイルス科レンチウイルス属に属します。HIV は変異しやすいウイルスのため、ワクチンや抗 HIV 薬の開発を阻んでいます。HIV が T 細胞などに直接感染することにより、あるいは感染細胞が非感染細胞に融合することにより、体内に広がります。

HIV は血清学的・遺伝学的性状の異なる HIV-1 と HIV-2 に大別されます。HIV-1 は、世界流行の主体となっており、全世界に分布していますが、HIV-2 は主に西アフリカ地域に限局しています。これは、HIV-2 が HIV-1 と比較して感染性や病原性が低いためと考えられています。

MazF 遺伝子治療

当社は、大腸菌由来の RNA 分解酵素である MazF を用いた HIV 遺伝子治療（MazF 遺伝子治療）の開発を進めています。当社はこれまでにエイズの原因ウイルス（HIV-1）を用いた培養細胞への感染実験により、MazF 遺伝子をヒト T 細胞に導入することによって、細胞に対しては毒性を示すことなく、HIV-1 の複製のみが効果的に抑制されることを発見しています。また、MazF 遺伝子をレトロウイルスベクターにより導入したヒト T 細胞に、様々な抗 HIV 薬が効かなくなった多剤耐性 HIV-1 株を感染させたところ増殖を抑制できること（鹿児島大学との共同研究）などの有望な結果を示してきました。また、医薬基盤研究所霊長類医科学研究センターと共同で、サルを用いた MazF 遺伝子治療の動物試験も実施し、MazF 遺伝子を導入した細胞がサル個体に対しても安全であることを確認しています。

MazF

ニュージャージー医科歯科大学の井上正順教授は、大腸菌のトキシンのひとつである MazF が、RNA 中の ACA の塩基配列を特異的に認識して切断する機能を有する酵素であることを発見しました。

レトロウイルスベクター

レトロウイルスとは、一本鎖 RNA をゲノムとする約 0.1 μm のウイルスで、このウイルスが感染した細胞では、RNA ゲノムから合成された DNA が染色体に組み込まれます。遺伝子治療用ベクターとして、レトロウイルスの一種であるマウス白血病ウイルス（MoMLV：Moloney murine leukemia virus）を特別な細胞の中でのみ増殖できるように改変し、自己増殖能を奪ったものが広く用いられています。このベクターを使用すれば種々の細胞に遺伝子導入を行うことができ、安定した形質発現が期待できます。

多剤耐性 HIV 株

様々な抗 HIV 薬によって増殖が阻害されなくなった HIV を意味します。

GMP

Good Manufacturing Practice の略で、医薬品を製造する際に遵守すべき「医薬品及び医薬部外品の製造管理及び品質管理規則」を指します。GMP は、安全で品質が担保された医薬品を供給するため、医薬品の製造時の管理、遵守事項を各国の規制当局が定めたものです。

以上