



AnGes

2022年9月7日の発表について

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2022年9月

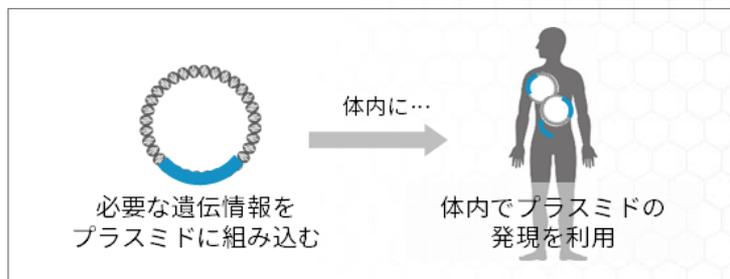
01

新型コロナウイルス感染症向けDNAワクチンについて

開発を始めた経緯

世界初の**プラスミドDNA**による**遺伝子治療用製品**の研究開発で
 培った技術を活かし
新型コロナウイルス感染症向けDNAワクチンの開発を決定

HGF遺伝子治療用製品の 開発・製品化の実績



大腸菌などの細菌に存在する環状の**プラスミドDNA**に遺伝子を挿入し、その**プラスミドDNA**を投与することで、体内で必要なタンパクを産生

プラスミドDNAは大腸菌に導入し、大量培養が可能
 ため、短期間で大量に**プラスミド**を作ることが可能

新型コロナウイルス DNAワクチン開発



遺伝子治療用製品で培った
プラスミドDNA技術



大阪大学にて研究

WHOホームページより引用

開発の経過

2020年3月に新型コロナウイルス感染症（武漢型）向けDNAワクチンの開発を決定後
初期ワクチンの非臨床試験を開始し、2021年3月までに第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験の投与を完了
2021年8月より、初期のワクチンの薬剤濃度を上げた高用量製剤を用いた第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を実施

2020/3

2020/11

2021/3

2021/8

2021/11

2022/8

初期ワクチン

非臨床試験

第Ⅰ/Ⅱ相
臨床試験第Ⅱ/Ⅲ相
臨床試験第Ⅱ/Ⅲ相
経過観察・分析

高用量製剤

第Ⅰ/Ⅱ相
臨床試験第Ⅰ/Ⅱ相
経過観察・分析

臨床試験結果と今後の計画

これまでのDNAワクチン

安全性



免疫原性



これまでのDNAワクチンは開発を中止し
改良型DNAワクチンを新たに開発

改良型DNAワクチン

**プラットフォームの
見直し**

プラスミドの発現効率、導入効率の向上

経鼻投与製剤

広範な免疫応答を刺激し、
ウイルスの増殖防止、拡散の阻止

スタンフォード大学との取り組みについて

スタンフォード大学が保有する「Gold-Nanostar Octopod」技術を活用

スタンフォード大学では、ウイルス性肺疾患に対し、広範な免疫応答を刺激し、ウイルスの増殖防止、拡散の阻止が期待される、ワクチンの経鼻投与製剤の研究が進んでいる

武漢型の遺伝子配列を持つプラスミドDNAを用いて経鼻投与ワクチンを作製し、マウスを用いた実験で、血清中の抗体（IgG、IgA、IgM）が上昇することを確認している

武漢型のみならずβ株等の変異株に対しても中和活性を示すこと、組織学的な検討により、リンパ節・脾臓において、スパイクタンパク質に対する細胞性免疫反応、液性免疫反応が確認されている

この成果を基に、今後、最新の**変異株を用いた経鼻ワクチンを作製**する開発を開始する

■ 共同研究契約の概要

提携先名称	スタンフォード大学
提携先所在地	アメリカ合衆国 カリフォルニア州
研究期間	概ね3年程度
研究費	概ね300万ドル

改良型ワクチンの開発内容

安全でより効果の高いワクチンのために経鼻投与製剤の研究開発

【経鼻投与とは】

新型コロナウイルスやインフルエンザ、風邪などの原因となるウイルスや細菌は鼻や口、喉といった「上気道」や、腸管などの「消化管」の粘膜を侵入口として体内に入り込もうとします。上気道や消化管には感染から身を守るための「粘膜免疫」という仕組みがあり、ウイルスを迎え撃ちます。



粘膜に分泌されるタイプの「IgA」という抗体が鼻や喉にできれば感染自体を防ぐ効果が高まる可能性があり、経鼻投与では、感染部位である、気道部分に免疫を作ることが可能になります。

02

HGF遺伝子治療用製品について

HGF遺伝子治療用製品の開発状況

2019年3月に、日本国内における慢性動脈閉塞症の下肢潰瘍の改善を
 効能、効果又は性能として条件及び期限付製造販売承認を取得

日本国内における慢性動脈閉塞症の安静時疼痛の適応追加に向けた第Ⅲ相臨床試験
 米国における慢性動脈閉塞症の下肢潰瘍患者を対象とした第Ⅱ相臨床試験

■条件及び期限付き承認制度

プロジェクト (一般名)	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)		承認・審査	条件・期限 付き承認	販売	市販後 調査	本承認
					第Ⅰ相	第Ⅱ相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベパルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	

■通常の承認制度

プロジェクト	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)			承認・審査	承認
					第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
HGF遺伝子治療用製品 (ベパルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	実施中		
	米国	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	後期 実施中			

安静時疼痛の治験結果概要

HGF遺伝子治療用製品の慢性動脈閉塞症の安静時疼痛に対する
適応追加のための第Ⅲ相臨床試験の結果、
安静時疼痛に対する主要評価項目を達成できない

■ 条件及び期限付き承認制度

プロジェクト (一般名)	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)		承認・審査	条件・期限 付き承認	販売	市販後 調査	本承認
					第Ⅰ相	第Ⅱ相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベアルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	

■ 通常の承認制度

プロジェクト	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)			承認・審査	承認
					第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
HGF遺伝子治療用製品 (ベアルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	実施中		開発中止
	米国	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	後期 実施中		

今後の計画について

日本国内において慢性動脈閉塞症の下肢潰瘍の改善を効能、
 効果又は性能とする**本承認の取得に向けた申請の準備**を計画どおり進めます
 米国において下肢潰瘍を有する慢性動脈閉塞を対象とした**後期第II相臨床試験を継続し**、
 早期に臨床試験のステージを進捗させられるよう開発を進めます

■ 条件及び期限付き承認制度

プロジェクト (一般名)	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)		承認・審査	条件・期限 付き承認	販売	市販後 調査	本承認
					第I相	第II相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベアルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	申請 準備中

■ 通常の承認制度

プロジェクト	地域	適応症	基礎研究	非臨床 試験	臨床試験 (治験)			承認・審査	承認
					第I相	第II相	第III相		
HGF遺伝子治療用製品 (ベアルミノゲンペルプラスミド)	日本	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	▶	開発中止	
	米国	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	後期 実施中	継続実施	

継続実施

継続実施

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



アンジェス ホームページ
<https://www.anges.co.jp>