



2022年5月11日

各位

会社名 アンジェス株式会社  
代表者名 代表取締役社長 山田 英  
(コード:4563 東証グロース)  
問合せ先 広報・IR グループ  
<https://www.anges.co.jp/contact/>

## Eiger BioPharmaceuticals Inc.との希少疾患治療薬ゾキンヴィに関する 日本における販売契約締結のお知らせ

当社は、2022年5月10日に Eiger BioPharmaceuticals Inc. (本社:米国カリフォルニア州; 社長:デヴィッド・コリー; 以下「アイガー社」といいます)と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(以下「HGPS」といいます)とプロジェロイド・ラミノパチー(以下「PL」といいます)の適応症の治療薬であるゾキンヴィ(一般名:ロナファルニブ)について、日本における独占販売契約を締結しましたのでお知らせいたします。

### 1. 本契約の概要

当社は、本契約に基づき日本におけるゾキンヴィの独占の販売会社となります。また、当社は日本における薬事承認の取得を担当するとともに、製品をアイガー社から購入します。当社はアイガー社に対して、契約一時金及び開発進捗に応じたマイルストーンの総額として最大 150 万米ドルを支払います。

当社代表取締役社長山田 英は、以下のようにコメントしています。「当社は日本におけるゾキンヴィ販売についてアイガー社と提携出来たことを大変喜ばしく思います。日本においては有効な治療薬がない HGPS 患者さん、PL 患者さんに一日も早く本剤をお届けできるよう、速やかな薬事承認を目指します。薬事承認取得と並行して、昨年より新生児のオプショナルスクリーニング(希少遺伝性疾患検査事業)を開始したアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(ACRL)において、治療薬が存在する遺伝性疾患患者発見のための診断検査を拡充する一環として、プロジェリア症候群の検査を実施する準備を進めて参ります。」

アイガー社の社長兼 CEO の デヴィッド・コリー は、「HGPS や PL に苦しむ患者さんを支援するため、日本でゾキンヴィの承認と商業化を目指すアンジェス社とパートナーシップを締結したことを嬉しく思います。この提携は、当社の革新的な治療法を十分に活用し、株主価値の向上と世界の恵まれない患者さんの支援につなげるというアイガーの戦略的アプローチを代表するものです」と述べています。

### HGPS と PL について

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(Hutchinson-Gilford progeria syndrome)とプロジェロイド・ラミノパチー(Progeroid laminopathies)は、それぞれが大変希少な致死性の遺伝的早老症で、若い患者の死亡率が加速度的に上昇します。HGPS は世界で 400 人、PL は 200 人いると推定されています。

HGPS は、LMNA 遺伝子の点突然変異により、ファルネシル化(注1)された異常タンパク質であるプロジェリンが生成されることにより発症します。PL は、LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異により、

プロジェリンとは異なるファルネシル化タンパク質を生成し、老化を促進する遺伝的疾患です。これらの遺伝子変異は、プロジェリンを生成しないものの、HGPSと同様の症状を持つ疾患を引き起こしますが、HGPSとは区別されます。

ゾキンヴィによる治療を受けなければ、HGPSの子どもたちは平均14.5歳までに、何百万人もの成人がかかるのと同じ心臓病(動脈硬化症)で死亡するのが一般的です。病気の症状には、深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、関節拘縮、骨格形成不全、心血管系の衰えを伴う全身性動脈硬化の促進、衰弱性の脳卒中が含まれます。

### ゾキンヴィ(ロナファルニブ)について

ゾキンヴィは、HGPSの死亡リスク低減、プロセッシング不全性早老性PLの治療薬として、2020年11月に米国で承認されました。適応症は、成人及び生後12カ月以上の小児です。

ゾキンヴィは、HGPSやプロセッシング不全PLの小児及び若年成人において、核膜と強固な結合を形成するファルネシル化した欠陥タンパク質(細胞の不安定化と早期老化を惹起)の蓄積を阻害します。

ゾキンヴィは、ファースト・イン・クラス(注2)の疾患修飾剤であり、小児及び若年成人の早老症患者において統計学的に有意な生存期間の延長を示しました。HGPSの患者において、ゾキンヴィは死亡率を60%減少させ( $p=0.0064$ )、平均生存期間を2.5年延長させることができました。最も多く報告された副作用は消化器系(嘔吐、下痢、悪心)で、そのほとんどが軽度または中等度(グレード1または2)でした。多くのプロジェリア患者は、10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しています。

アイガー社は、メルク社(米国・カナダ以外ではMSD)からロナファルニブに関する全世界での独占的権利をライセンスされました。メルク社は、早老症の治療薬としてロナファルニブを開発するためのマイルストーン支払いを受け取らず、また、同社は一定量のロナファルニブについてはアイガー社からロイヤリティを受け取りません。

米国におけるゾキンヴィの処方情報などの詳細については、[www.zokinvy.com](http://www.zokinvy.com)を、米国の重要な安全性情報については、[www.zokinvy.com/hcp#important-safety-information](http://www.zokinvy.com/hcp#important-safety-information)をご覧ください。アイガー社は、欧州医薬品庁に販売許可申請を行い、2022年第2四半期にCHMPの見解が得られる見込みです。ゾキンヴィは日本では適応症が未承認です。

### アイガー社について

アイガー社は、肝炎δウイルス(HDV)やその他の深刻な疾患を治療・治癒するための革新的な治療法の開発に注力する一方、すでに製品を上市しているバイオ医薬品企業です。アイガー社のHDVプラットフォームには、ウイルス複製に関与する重要な宿主プロセスを標的とした、フェーズ3段階にあるファースト・イン・クラスの治療薬が2つ含まれています。また、COVID-19の治療薬としてpeginterferon lambdaを開発しており、医師がスポンサーとなった第3相治験(TOGETHER試験)の良好な結果に基づいて、FDAに緊急使用承認申請を提出する予定です。

アイガー社の5つの希少疾病プログラムは、HDVに対するロナファルニブとペグインターフェロンラムダ、早老症に対するゾキンヴィ、先天性高インスリン症と肥満後の低血糖に対するアベキシチドなど、すべてFDAのブレイクスルー・セラピー指定(注3)を受けています。

アイガーとその臨床プログラムに関する詳細については、[www.eigerbio.com](http://www.eigerbio.com)をご覧ください。

アイガー社は米国 Nasdaq 市場に上場しております。(NASDAQ: EIGR)

(注1) ファルネシル化：タンパク質に行われる修飾の一種です。ファルネシル化により、タンパク質の末端には疎水性のプレニル基が結合します。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分を細胞膜内に挿入するため、タンパク質は細胞膜(細胞の内側)につなぎ留められます。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞の内側の細胞膜上に存在するようになります。

(注2) ファースト・イン・クラス：新規性・有用性が高く、化学構造も従来の医薬品と基本骨格から異なり、従来

の治療体系を大幅に変えるような独創的医薬品を言います。

(注3) ブレークスルーセラピー指定：新たな治療薬の開発・審査の促進を目的にしたFDAの制度です。

## 2. 相手先の概要

(1) 名 称	Eiger BioPharmaceuticals, Inc.			
(2) 所 在 地	2155 Park Boulevard Palo Alto, CA 94306			
(3) 代表者の役職・氏名	David A. Cory, RPH, MBA PRESIDENT AND CHIEF EXECUTIVE OFFICER			
(4) 事 業 内 容	医薬品開発			
(5) 資 本 金	413 million 米ドル			
(6) 設 立 年 月 日	2008年11月6日			
(7) 上場会社と当該会社との間の関係	資 本 関 係	該当事項はありません		
	人 的 関 係	該当事項はありません		
	取 引 関 係	該当事項はありません		
	関連当事者への該当状況	該当事項はありません		
(8) 当該会社の最近3年間の連結経営成績及び連結財政状態				
	決算期	2021年12月期	2020年12月期	2019年12月期
連 結 純 資 産		72 million 米ドル	95 million 米ドル	56 million 米ドル
連 結 総 資 産		126 million 米ドル	144 million 米ドル	105 million 米ドル
1株当たり連結純資産		2.1 米ドル	2.8 米ドル	2.3 米ドル
連 結 売 上 高		12 million 米ドル	—	—
連 結 営 業 損 益		△76 million 米ドル	△62 million 米ドル	△69 million 米ドル
連 結 税 引 前 損 益		△34 million 米ドル	△65 million 米ドル	△70 million 米ドル
親会社株主に帰属する当期純損益		△34 million 米ドル	△65 million 米ドル	△70 million 米ドル
1株当たり連結当期純損益		△1.00 米ドル	△2.31 米ドル	△3.08 米ドル
1株当たり配当金		—	—	—

## 3. 本契約の日程

契約締結日 2022年5月10日

## 4. 今後の見通し

本契約による当社連結業績、財政状態への影響は軽微です。今後、開示すべき事象が発生した場合には、速やかに開示いたします。

以 上

アンジェス株式会社お問い合わせ先  
 一般のお問い合わせ <https://www.anges.co.jp/contact/>  
 報道関係のお問い合わせ <https://www.anges.co.jp/press/>