

**Wave Life Sciences Ltd.と武田薬品工業社は中枢神経系疾患を対象とした  
治療薬開発を進めるためのグローバルな戦略的提携を行いました**

2018年2月20日（米国東部標準時間）

（要約）

この提携で武田薬品工業社は、ハンチントン病、筋萎縮性側索硬化症、前頭側頭型認知症及び脊髄小脳失調症3型に関する Wave 社の開発薬について共同開発及び共同製品化プログラム（利益は折半する条件）のオプション権を持ちます。

Wave 社は、その対価として少なくとも 230 百万米ドル（契約一時金として 110 百万米ドル、Wave 社株式購入として 60 百万米ドル（54.70 米ドル/株）、及び研究支援として少なくとも 60 百万米ドルが含まれる）を受領することになります。

また、武田薬品工業社は、中枢神経系疾患に関する自社の複数の前臨床試験プログラム（一度に 6 つまで）に対し Wave 社のプラットフォーム技術を適用する権利を持ち、一方 Wave 社は、その対価として 1,000 百万米ドルを超える製品化前の潜在的マイルストーンと売上高に応じたロイヤルティを受領することになります。

（本文）

CAMBRIDGE, Mass., Feb. 20, 2018 (GLOBE NEWSWIRE) --Wave 社は、重大な遺伝的疾患を持つ患者のために革新的な治療法を提供することに焦点を絞ったバイオテクノロジー企業であり、中枢神経系（CNS）疾患に対する治療薬の発見、開発及び製品化のため武田薬品工業社とグローバルな戦略的提携を行うことを本日発表しました。今回の提携で Wave 社は、ハンチントン病（HD）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、前頭側頭型認知症（FTD）、脊髄小脳失調症 3 型（SCA3）の共同開発及び共同販売のオプション権を武田薬品工業社に提供する予定です。また、武田薬品工業社は、アルツハイマー病やパーキンソン病などの中枢神経系疾患を対象とした複数の前臨床試験プログラムのライセンスを取得する権利を有します。Wave 社は、デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の治療を対象とした、先行する臨床試験プログラムを含め、神経系疾患における自社の活動を独立して継続します。

2 つの要素からなる契約の下、武田薬品工業社は Wave 社に 110 百万米ドルの契約一時金を支払い、Wave 社の普通株式 60 百万米ドルを 1 株当たり 54.70 米ドルで購入します。また、武田薬品工業社は、武田薬品工業社の選択により同社へライセンスされた複数の前臨床試験を進展させるため、4 年間に少なくとも 60 百万米ドルを Wave 社の研究に資金提供する予定です。

Wave 社の社長兼最高経営責任者（CEO）である Paul Bolno 氏は、次のように述べています。「この野心的な提携で、武田薬品工業社と協力して、神経系疾患に罹患した患者に有意義な治療法を提供することに興奮しています。今回の提携で、複数のデータを通じて臨床試験プログラムを進め、神経学やその他の治療分野でのパイプラインを拡大し続けるための追加リソースを提供します。私たちは、武田薬品工業社と協力して、オリゴヌクレオチドと臨床能力の専門知識を活用して、当社を成長させ、患者のために科学的かつ医学的な進歩を続けることを楽しみにしています。」

武田薬品工業社の Center for External Innovation の Daniel Curran 氏は次のように述べています。「武田薬品工業社では、患者に革新的な医薬品を提供するという研究のフォーカスとコミットメントを共有する企業との提携に重点を置いています。オリゴヌクレオチドを最適化する Wave 社の専門知識は、武田薬品工業社が現在神経系疾患のために追求しているプログラムに対する補完的なアプローチを提供し、成功への可能性を最大限に引き出すものとなります。Wave 社のパイプラインと研究のフォーカスは武田薬品工業社のものと合致しています。」

本契約の第一の要素は、Wave 社が初期臨床試験においてメカニズムを証明している以下の核酸医薬治療薬について、武田薬品工業社が Wave 社と共同開発し、共同販売するオプション権を付与します。

- WVE-120101 及び WVE-120102 : ハンチンチン (HTT) 遺伝子の突然変異対立遺伝子を選択的に標的とし、現在 HD の治療のための第 1b / 2a 相臨床試験にある
- CVE-3972-01 : C9ORF72 遺伝子を標的とし、2018 年第 4 四半期に始まる ALS および FTD の治療のための臨床試験で評価されることが期待されている
- SCA3 の治療のための ATXN3 遺伝子を標的とするプログラム

個々のプログラムについて武田薬品工業社がオプション権を行使すると、Wave 社はその対価の支払いを受け、製造と共同臨床開発活動を開始します。武田薬品工業社は、米国における共同販売活動と米国以外のすべての販売活動を主導します。全世界でかかるコストと潜在的利益は 50:50 で折半され、Wave 社は開発及び販売マイルストーンの支払いを受ける権利を有します。

本契約の第 2 の要素は、アルツハイマー病およびパーキンソン病を含む CNS 疾患を対照とする複数の前臨床試験プログラムをライセンスする権利を武田薬品工業社に提供することとなります。4 年間の期間中、武田薬品工業社は一度に 6 つまでの前臨床試験プログラムを共同開発することができます。武田薬品工業社は少なくとも 60 百万ドルの Wave 社の前臨

床試験活動に資金を提供し、同意した追加費用について Wave 社に返済します。武田薬品工業社が規制当局の承認と販売目標を達成する 6 つのプログラムを進めていくとすると、Wave 社は 2,000 百万ドル以上のマイルストーンを受け取る権利を有します。そのうち、1,000 百万ドル以上は販売前のマイルストーン支払いになります。また、Wave 社は、各ライセンスプログラムの世界的な販売売上げについてについて、1 桁後半から 10 代半ば迄の段階的なロイヤリティ支払を受ける権利を有します。

本契約は、1976 年の Hart-Scott-Rodino 反トラスト改正法の要件を含む慣習的なクロージング条件を満たした時点で有効になります。

Wave 社は、武田薬品工業社との共同開発以外にも、第 1 相臨床試験中のエクソン 51 (WVE-210201) を標的とした治験薬である先行する DMD プログラムを含む神経筋疾患の活動を独自に進めています。エクソン 53 を標的とする Wave 社の次の DMD プログラムにおいて 2019 年第 1 四半期に臨床開発が開始される予定です。同社は、ファイザーとの共同による代謝性肝疾患や Wave 社が完全に開発計画を所有している眼科を含む他の治療分野において、前臨床試験パイプラインを拡大し続けます。

#### WVE-120101 と WVE-120102 について

HD は、変異型 HTT (mHTT) タンパク質の産生をもたらす HTT 遺伝子におけるシトシン・アデニン・グアニン (CAG) トリプレット反復の拡大によって引き起こされる常染色体優性の進行性の神経変性疾患である。mHTT タンパク質の蓄積は、脳におけるニューロンの進行性喪失を引き起こす。野生型または健康な HTT (wtHTT) タンパク質は、ニューロンの機能にとって重要であり、これまでの研究は、長期間の発現抑制が有害な結果をもたらす可能性があることを示唆している。WVE-120101 および WVE-120102 は、それぞれ SNP rs362307 (SNP1) および SNP rs362331 (SNP2) の mHTT mRNA 転写物を選択的に標的化するように設計された治験用立体特異的アンチセンスオリゴヌクレオチドである。患者由来細胞系におけるインビトロ研究は、wtHTT mRNA およびタンパク質をほとんど損なわずに、WVE-120101 および WVE-120102 が mHTT mRNA およびタンパク質のレベルを選択的に低下させることを示した。

#### WVE-3972-01 について

ALS および FTD は、大脳皮質および運動ニューロンの神経細胞を含む様々な組織に見出されるタンパク質を作製するための指示を提供する、C9ORF72 遺伝子における突然変異によって引き起こされ得る。WVE-3972-01 は、C9ORF72 遺伝子の病原性対立遺伝子を優先的に標的とするように設計された治験用の立体特異的アンチセンスオリゴヌクレオチドである。突然変異した C9ORF72 遺伝子をもつトランスジェニック動物モデルで行ったインビ

ボ研究では、WVE-3972-01 が、トータル C9ORF72 タンパク質レベルを変化させることなく、リピート含有転写物、RNA 凝集体およびジペプチドリピータンパク質のような疾患関連バイオマーカーの有意で持続的な選択的ノックダウンを生じることが実証された。

#### Wave Life Sciences について

Wave 社は、重大な遺伝的疾患を有する患者のための革新的な治療案を提供することに重点を置くバイオテクノロジー企業です。Wave 社の化学プラットフォームは、複数の治療様式にわたって優れた有効性と安全性を提供するように設計された、高度に特異的で、特性の優れたオリゴヌクレオチドの作製を可能にします。Wave 社のパイプラインは当初、神経疾患にフォーカスしておりましたが、他のいくつかの治療領域にまたがって拡大しています。詳細については、[www.wavelifesci.com](http://www.wavelifesci.com) をご覧ください。