NEWS RELEASE

同志社大学
Doshisha University

Release No.38
2021年12月10日

報道関係 各位

記者レク開催について

同志社大学発ベンチャー・アクチュアライズ㈱と参天製薬㈱
フックス角膜内皮ジストロフィを対象とした第Ⅱ相臨床試験
（PhaseⅡa / POC 試験）の共同開発契約を締結

このたび、同志社大学発のバイオベンチャー・アクチュアライズ株式会社が参天製薬株式会社とフックス角膜内皮ジストロフィを対象としたシロリムス点眼液のグローバル開発に向けた第II相臨床試験（PhaseIIa / POC試験）の共同開発契約を締結しました。

フックス角膜内皮ジストロフィは欧米人の 40 歳以上の約4%が罹患するとされる角膜の疾患です。進行すると角膜の混濁や浮腫によって視力が低下し水疱性角膜症と呼ばれる状態になり、患者さんのQOLが著しく損なわれます。現在の治療法はドナー角膜を用いた角膜移植のみであり、世界で行われている角膜移植の約40%（第1位）が本疾患に対して行われています。一方、角膜移植には世界的なドナー不足や拒絶反応、手術の侵襲など様々な課題があり、患者さんの負担の少ない点眼薬での治療選択肢が求められています。

同志社大学生命医科学部ティッシュエンジニアリング研究室ではこれまでにシロリムスという薬剤がフックス角膜内皮ジストロフィの進行抑制に有効であることを発見しました。将来的にシロリムス点眼液が承認されると、本点眼液はフックス角膜内皮ジストロフィに対する世界で初めての手術によらない薬剤による治療法となり、視力障害に苦しまれている患者様への大きな助けになるものです。アクチュアライズ株式会社と参天製薬株式会社の協業は、この研究成果を世界中の患者様へお届けするための大きなステップです。

これまでの研究内容、期待される社会への効果、今後の展望等について、下記のとおり記者レクを開催いたします。お忙しいとは思いますが、ご参加いただきますようお願いいたします。

記

■日　　時：2021年12月15日（水）15:00～16:00
■開催方法：オンライン（Zoom）
※申込み後にZoomのURLをお送りしますので取材いただける場合は恐れ入りますが、別紙の取材連絡票を下記連絡先にお送りいただきますようお願いいたします。
■説 明 者：奥村直毅（同志社大学生命医科学部医工学科　教授）

【本件に関するお問い合わせ】
同志社大学広報課（担当：河村）
電話：075-251-3120　FAX：075-251-3080　E-mail：ji-koho@mail.doshisha.ac.jp

以　上

同志社大学発バイオベンチャーが角膜移植に代わる点眼薬の開発を目指した第Ⅱ相臨床試験の共同開発契約を締結

ポイント

- ✓ フックス角膜内皮ジストロフィの治療薬候補としてシロリムスを同定しました。
- ✓ アクチュアライズ株式会社（同志社大学発バイオベンチャー）が参天製薬株式会社と臨床試験の共同開発契約を締結しました。
- ✓ シロリムス点眼液が承認されたら角膜移植に代わる、世界初の治療薬となる可能性があります。

背景

フックス角膜内皮ジストロフィは欧米人の 40 歳以上の約 4%が罹患しているとされる角膜の病気です。角膜は車のフロントガラスに例えられる透明な組織で光を眼球の中に取り入れる役割を果たしています。フックス角膜内皮ジストロフィが進行すると本来透明である角膜が白く濁り著しい視力低下を生じます（図 1）。[1] しかも両眼に病気が生じてしまうので、ひどく生活の質を下げてしまいます。治療法は亡くなったドナーより提供された角膜を使った角膜移植であり、世界で行われている角膜移植の原因の第一位（39%）が本疾患に対して行われています。[2,3] 角膜移植によらない負担の少ない治療法の開発が強く望まれていますが、現状は有効な薬などはありません。

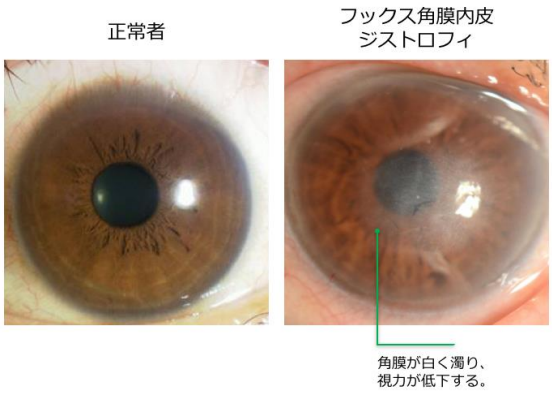

図 1. フックス角膜内皮ジストロフィ
角膜内皮が障害されることで角膜に多量の水分を含み白く濁り視力が著しく低下する。

フックス角膜内皮ジストロフィの治療薬の候補の発見

私たちこれまでに、フックス角膜内皮ジストロフィの患者さんの角膜内皮細胞を培養することで疾患モデル細胞を作成することに成功しました。この疾患モデル細胞を用いて、FDA で既に別の病気の治療薬として承認された薬剤 700 種類以上をスクリーニングすることで、シロリムスという薬剤が疾患モデル細胞

の細胞死を抑制して、フックス角膜内皮ジストロフィの治療薬の候補となることを発見しました。

同志社大学発バイオベンチャー

同志社大学生命医科学部医工学科 ティッシュエンジニアリング研究室では、眼科医でもある教員の小泉範子と奥村直毅が中心となって、角膜内皮疾患に対する治療薬と再生医療の開発を進めて来ました。大学での研究成果を患者さんの治療に活かせる可能性が高まったために、大学発バイオベンチャーであるアクチュアライズ株式会社（代表取締役：杉岡 郁）を起業するに至りました。アクチュアライズ株式会社は、2021 年 5 月に中国を拠点とする Arctic Vision 社に角膜内皮疾患の治療を目的とする再生医療等製品の候補について中華圏（中国本土、香港、マカオ、台湾）および韓国における独占的ライセンス契約を行っています。

大学での優れた研究成果があっても多くの場合、大学の研究室の力だけでは製品化までつなげることができず、社会に新しい技術を実装することができないことが問題点として指摘されています。このような背景のもと、大学発ベンチャーを通じて大学の研究成果を社会に届けるという試みが徐々に盛んになってきています。今回のアクチュアライズ株式会社と参天製薬株式会社とのシロリムス点眼液の共同開発契約の締結は、大学発ベンチャーを通じて大学の研究成果の社会実装が進む可能性が高まることの良い一例と捉えています。

第Ⅱ相臨床試験の共同開発契約

アクチュアライズ株式会社は、フックス角膜内皮ジストロフィを対象疾患としてシロリムス点眼液の第Ⅱ相臨床試験の共同開発を行います。共同開発契約では、共同開発における両社の役割分担および、第 II 相臨床試験終了時の全世界における独占的実施権許諾につき、参天製薬株式会社の独占交渉権及び交渉時の基本条件（アップフロント、マイルストーン、ロイヤリティなど）を定めています。眼科業界を代表するリーディングカンパニーである参天製薬株式会社との共同開発により、眼科医の長年の夢であったフックス角膜内皮ジストロフィの薬物治療が可能になると考えています。

文献

1. Lorenzetti DW, Uotila MH, Parikh N, Kaufman HE. Central cornea guttata. Incidence in the general population. *Am J Ophthalmol* 1967;64:1155-1158.

2. Eye Bank Association of America. Eye Banking Statistical Report. *Washington, DC* 2019.

3. Gain P, Jullienne R, He Z, et al. Global Survey of Corneal Transplantation and Eye Banking. *JAMA Ophthalmol* 2016;134:167-173.

用語解説

1) 角膜と角膜内皮
角膜は眼球の前方に位置する透明な組織である。外界から光を眼の中に取り込むレンズとしての役割をもつ。角膜内皮はポンプ機能とバリア機能を持つ、角膜の奥側にある一層の細胞からなる組織である。重度に障害されると角膜は透明性を維持できず白く濁り、視力低下を生じる。
2) シロリムス
シロリムスは 1972 年にイースター島の土壌から発見された放線菌から単離された。mTOR というタンパク質を標的としてそのシグナルを阻害する。日本ではリンパ脈管筋腫症に対する治療薬として承認されている。

アクチュアライズ株式会社ウェブサイト

https://www.actualeyes.co.jp/

ティッシュエンジニアリング研究室ウェブサイト

http://tissue-engineering-doshisha.jp/

お問い合わせ先

奥村 直毅（オクムラ ナオキ）

同志社大学 生命医科学部 医工学科 教授
〒 610-0321 京都府京田辺市多々羅都谷 1-3
TEL: 0774-65-6508
e-mail: nokumura@mail.doshisha.ac.jp