

プレスリリース（日本語訳）

2011年 12月
アレクシオン ファーマ

アレクシオン・ファーマシューティカルズ（米国コネチカット州チェシャー）が発表したプレスリリースの日本語訳です。

アレクシオン、エノビア ファーマを買収、 低ホスファターゼ血症（HPP）患者に初めての治療法の可能性

－ 後期臨床試験段階にある極めてまれな生命を脅かす
遺伝的代謝疾患の酵素補充療法 －

コネチカット州チェシャー&モントリオール（カナダ）-2011年12月28日- アレクシオン・ファーマシューティカルズ(Nasdaq:ALXN)とエノビア・ファーマは本日、アレクシオンがエノビアの株式資本の100%を取得するという正式契約に署名しました。エノビアはモントリオール（カナダ）およびマサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置き、極めてまれな生命を脅かす遺伝的代謝疾患患者さんの治療法の開発を専門とした民間のバイオ製薬会社です。

エノビアの主力製剤候補であるENB-0040 (Asfotase alfa) は、承認済みの治療法がない極めてまれな生命を脅かす遺伝的代謝疾患の1つである低ホスファターゼ血症（HPP）患者さんを対象としたヒト組換えアルカリホスファターゼ酵素補充療法です。アレクシオンは、Asfotase alfaに関する世界規模の開発権および販売権をすべて得ることになります。Asfotase alfaは2008年に米国および欧州連合においてオーファンドラッグに指定され、また2009年には米国において優先承認審査の指定を受けました。現在は、第II相臨床開発段階にあります。

「低ホスファターゼ血症は極めてまれな生命を脅かす疾患であり、この疾患を克服して生存している患者さんは骨格の変形、重度の筋力低下および重要臓器の進行性損傷などの消耗性の病的状態を示します」とアレクシオンのCEO、Leornard Bell, M.D. は述べました。

「Asfotase alfaは低ホスファターゼ血症の乳児や若年患者さんにおいて非常に有望な第II相臨床データを示しました。エノビアの買収は、極めてまれな重度の生命を脅かす疾患に



苦しむ患者さんの生活を改善する治療法を開発し、届けるというアレクシオンの目的を十分に満たしています」。

オービメッドのジェネラルパートナーでもあるエノビアのJonathan Silverstein会長は「アレクシオンは、重度で極めてまれな疾患患者さんの生活を改善する治療法の開発および実用化における確固とした専門知識を有し、エノビアの研究チームの業績を前進させるための理想的なパートナーとして迎え、世界中のHPP患者さんがAsfotase alfaを利用できるようにします」と述べました。オービメッドはエノビアの支配株主です。

「エノビアは共同研究者らとともに洗練された化合物を開発し、これまでに非常に有望な臨床結果を得ています」とエノビアのRobert Heft 社長/CEOは述べました。「アレクシオンとともに、エノビアは重度で極めてまれな疾患の患者さんの生活の改善にしっかりと焦点を合わせています。低ホスファターゼ血症の患者さん団体は、アレクシオンの経験やグローバルな視野から利益を得ることになるでしょう」

買収取引

アレクシオンは全額現金での取引でエノビアを買収する予定です。契約の条件としてアレクシオンは取引完了時に6億1千万ドルを現金で支払い、種々の規制をクリアし、販売目標の達成時に最大4億7千万ドルを現金で支払うことに合意しました。アレクシオンがこの買収に関連して株式を発行する予定はありません。この取引は、契約終了やハート・スコット・ロディノ反トラスト改正法下の待機期間の終了を含めて慣例法に従うこととなります。両社の取締役会は既に取引を承認し、両社は現在2012年第1四半期の取引完了を見込んでいます。

アレクシオンは手元現金と提携銀行からの借入金3億ドルを買収資金とする予定です。

ゴールドマン・サックスがアレクシオンの投資顧問を、また、ロープス&グレーが同社の法律顧問を務めています。一方、バンクオブアメリカ・メリルリンチがエノビアの投資顧問を、またウィルマーハールが同社の法律顧問を務めています。

低ホスファターゼ血症 (HPP) について

HPPは、骨石灰化不全およびリン酸やカルシウムの調節障害を特徴とする極めてまれな生命を脅かす遺伝的代謝疾患であり、骨の破壊や変形、重篤な筋力低下、発作、腎機能障害、



および呼吸不全など複数の重要臓器の進行性損傷に至ります^{1, 2, 3, 4}。HPPにおける遺伝的欠損を原因とする重度の症状は全年齢の患者さんに影響を及ぼし、この疾患の乳児の約50%は1歳を超えて生存できません¹。

HPPは組織非特異型アルカリホスファターゼとして知られる酵素の遺伝的欠損が原因で生じます。この酵素の欠損により生命の維持に不可欠な2種のミネラル、すなわちカルシウムとリン酸の代謝に生涯にわたる異常が引き起こされ、その結果直接的に消耗性の病的状態やこの疾患による若年死に至ります¹。現在のところ、HPPに関して承認された治療法はありません¹。

Asfotase Alfaについて

Asfotase alfaは必要な体組織への欠損酵素の補充を標的としてHPPの基礎となる原因に取り組む非常に革新的で画期的な組換え蛋白質から成る治験薬です。Asfotase alfaはHPP患者さんにおいて、遺伝的欠陥を含む代謝過程を正常化し、生涯にわたるミネラル代謝調節不全の重度かつ生命を脅かす合併症を予防または治療することを目的として設計されています。

2012年初期財務見通し

アレクシオンは2012年2月に、エノビアの買収に関する一時支出を組み入れた2012年財務指針を提示する予定です。2012年の研究開発費(non-GAPP)は、エノビアの計画と関連する活動が原因で一時的に売上高の約20~21%に上昇し、その後2013年にはアレクシオンの目標である売上高の約17~18%に戻ると予想しています。2012年には、提案されている買収に関連する販売費及び一般管理費(non-GAAP)の影響は限定的と予想しています。

アレクシオンは、昨年10月の、2011年第3四半期決算発表の際に示した、2011年の全領域の収益見通しについて、再度公表することとなります。

エノビア ファーマについて

モントリオール(カナダ)およびマサチューセッツ州ケンブリッジに本社を置くエノビアファーマは、重篤な代謝性骨疾患に対する新たな医薬品の臨床開発に特化した株式非公のバイオテック企業です。同社の最大の投資者にはオービメッド、Fonds de Solidarité des Travailleurs du Québec(F.T.Q.)、Capital Régional et Coopératif Desjardins、CTI Life Sciences Fund、L.P.およびLothian Partners 27(Sarl)SICARが含まれます。詳細



情報は、www.enobia.comをご覧ください。

アレクシオンについて

アレクシオン・ファーマシューティカルズは、重篤な希少疾患を抱える患者さんの生活を一変させるような薬剤療法を開発・提供するバイオ製薬会社です。アレクシオンは、補体阻害領域におけるグローバル・リーダーであり、慢性的な補体活性化のコントロール不良を原因とする、衰弱性かつ致命的な希少疾患である PNH および aHUS の治療薬であるソリリス® (エクリズマブ) の市場を開発しました。ソリリス® (エクリズマブ) は現在 PNH の治療薬として日本を含む 35 か国以上で承認されており、米国と欧州においては aHUS の治療薬として承認されています。アレクシオンは、ソリリス®のその他の適応症や、開発初期段階にある他の革新的なバイオテクノロジー製品候補の開発を継続して行っています。本プレスリリースとアレクシオン・ファーマシューティカルズの詳細情報については www.alexionpharma.com をご覧ください。

References

1. Mornet E. Review of Hypophosphatasia. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2007;2:40 doi:10.1186/1750-1172-2-40. Available at: <http://www.OJRD.com/content/2/1/40>.
2. Seshia SS, Derbyshire G, Haworth JC, Hoogstraten J. Myopathy with Hypophosphatasia. Arch Dis Child. 1990. 65(1):130-1.
3. Whyte MP. Hypophosphatasia: Nature's Window on Alkaline Phosphatase Function in Humans, in Principles of Bone Biology, 3rd Ed. Part II: Molecular Mechanisms of Metabolic Bone Disease, Chapter 73: 1573-1598. Academic Press. 2008.
4. Silver MM, Vilos GA, Milne KJ. Pulmonary Hypoplasia in Neonatal Hypophosphatasia. Pediatr Pathol. 1998. 8:483-493.

《お問い合わせ》

アレクシオン ファーマ

東京都渋谷区広尾 1-1-39 恵比寿プライムスクエアタワー12階

Info.Japan@alxn.com