



## Press Release

2020年4月1日

報道関係者各位

会 社 名 第 一 三 共 株 式 会 社  
代 表 者 代 表 取 締 役 社 長 眞 鍋 淳  
(コード番号 4568 東証第1部)  
問 合 せ 先 コーポレートコミュニケーション部長 大沼 純一  
TEL 03-6225-1126

### ウルトラジェニクス社からの遺伝子治療薬製造技術の導入について

第一三共株式会社（本社：東京都中央区、以下「当社」）は、Ultragenyx Pharmaceutical Inc.（所在地：米国カリフォルニア州、以下「ウルトラジェニクス社」）が保有するアデノ随伴ウイルス（以下「AAV」）ベクターを用いた遺伝子治療薬製造技術を非独占的に利用する契約を同社と締結しましたので、お知らせいたします。

遺伝子治療薬の研究開発においては、標的細胞への遺伝子導入方法が重要となりますが、最も期待されているのがAAVベクターであり、これを利用することにより、様々な組織に遺伝子を導入することができます。

当社は、現在、AAVベクターを用いた遺伝子治療薬の探索研究を行なっておりますが、将来的に同治療薬を患者さんへお届けするためには、自社で製造技術を早期に確立する必要があります。ウルトラジェニクス社は、独自にHeLa細胞およびHEK293細胞を用いたAAV生産系を開発し、安定した品質、生産効率の高さ、大量生産に対応可能という点で特に優れており、今回の提携に至りました。

本契約の下、当社は、ウルトラジェニクス社からの技術移転を完了させ、技術移転後は、同社の協力も得ながら製造能力を拡大し、2020年代半ば迄に、AAV遺伝子治療の治験薬製造を開始する予定です。

技術導入の対価として、当社は、ウルトラジェニクス社に対して、本契約締結時に1億2,500万米ドル、技術移転成功時に2,500万米ドル、および同技術で製造した製品の販売ロイヤリティを支払うほか、同社に7,500万米ドルの出資を行ないます。

当社は、2025年ビジョン「がんが強みを持つ先進的グローバル創薬企業」の先を見据えた持続的成長に向け、遺伝子治療、核酸医薬、細胞治療といった新しいモダリティ（治療手段）をはじめ、次世代創薬へ挑戦してまいります。

以 上

< Ultragenyx Pharmaceutical Inc.の概要 >

所在地：米国カリフォルニア州ノバート

設立年：2010年

概要：希少疾患領域にフォーカスした研究開発型のバイオ医薬品企業で、遺伝子治療薬の製造技術にも強みを持つ。