

2024年11月20日

各位

会社名 シンバイオ製薬株式会社  
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 吉田 文紀  
(コード番号: 4582)  
問合せ先 IR室 (TEL. 03-5472-1125)

**悪性リンパ腫における注射剤布林シドフォビルと免疫チェックポイント阻害薬との併用療法の可能性について第66回米国血液学会年次総会で発表**

シンバイオ製薬株式会社（本社：東京都、以下「シンバイオ」）は、米国カリフォルニア州サンディエゴにて12月7日から10日にかけて開催される第66回米国血液学会総会（The American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting）において、シンガポール国立がんセンターとの共同研究による注射剤布林シドフォビルの非ホジキンリンパ腫<sup>\*1</sup>に対する免疫チェックポイント阻害薬<sup>\*2</sup>との併用療法の可能性に関する研究成果の発表が行われますので、お知らせいたします。

本発表の概要は下記の通りとなっております。

タイトル：4172 Therapeutic Repurposing of Brincidofovir in Non-Hodgkin Lymphoma – Potential Synergy with Immune Checkpoint Blockade

（参考訳：非ホジキンリンパ腫における布林シドフォビルの治療的再利用 - 免疫チェックポイント阻害剤との併用療法の潜在的な可能性について）

セッション名：605. Molecular Pharmacology and Drug Resistance: Lymphoid Neoplasms: Poster III

セッション日時：2024年12月9日（月）6:00 PM - 8:00 PM（米国太平洋標準時）

場所：San Diego Convention Center, Halls G-H

本発表の抄録はASH website（英語）をご参照ください  
<https://ash.confex.com/ash/2024/webprogram/Paper202761.html>

以上

## 【注記】

### 注1：非ホジキンリンパ腫

リンパ球ががん化する病気で、B細胞リンパ腫とT細胞リンパ腫・NK細胞リンパ腫を合わせて非ホジキンリンパ腫と呼び、悪性リンパ腫の90%以上を占めます。

### 注2：免疫チェックポイント阻害薬

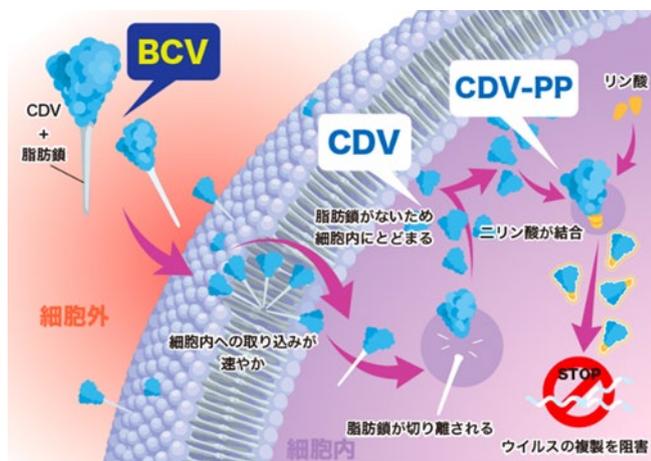
免疫チェックポイント阻害薬は、さまざまな免疫細胞の働きを抑制する「免疫チェックポイント」を阻害することで、がん細胞に対する免疫を活性化・持続させる薬剤です。

## 【布林シドフォビル (brincidofovir : BCV) 概要】

### ■ 作用機序

BCVは、米国で承認されているcidofovir (CDV)、本邦では未承認)の脂質結合体で、CDVに比べて細胞内へのBCVの取り込み効率が飛躍的に向上しています。BCVが細胞内に取り込まれるとCDV-PP (CDV diphosphate)に変換され、ウイルスの複製阻害作用により、高い抗ウイルス効果を発揮します。そのため、BCVはCDVや他の抗ウイルス薬と比べ、より低用量で広範囲の抗ウイルス効果を示すなど優れた特徴を併せもち、様々な2本鎖DNAウイルス(サイトメガロウイルス、エプスタイン・バーウイルス等のヘルペスウイルスや、アデノウイルス、BKウイルス、パピローマウイルス及び天然痘ウイルスやエムポックスウイルス等)に対して有効な治療方法になり得るものと期待されています。

またBCVは、CDVを初めとする他の抗ウイルス薬に比べ、深刻な副作用である腎毒性または骨髄抑制を回避できる新規の高活性の抗マルチウイルス薬として期待されています。



### ■ 臨床試験

#### 移植後感染症領域

シンバイオは、免疫不全状態のアデノウイルス感染症患者を対象とした注射剤布林シドフォビル (IV BCV) の第IIa相臨床試験を開始し (2021年3月)、FDAよりファスト・トラック指定 (2021年4月) を受けています。また、コーホート3までのデータに基づき抗ウイルス効果のPOC (Proof of Concept) の確立を確認 (2023年5月)。同結果を基に、日本における用途特許を取得 (2024年1月) しました。本試験の中間解析結果は、米国血液学会年次総会 (2023年)、米国 2024 Tandem Meetings、欧州血液骨髓移植学会年次総会 (2024年)、米国 ID Week2024等の主要学会で口頭発表されました。

また、2024年6月に、免疫不全状態のサイトメガロウイルス感染症に対する第IIa相臨床試験の第1例目の患者登録を実施しました。

## がん領域

2024年8月に、悪性リンパ腫を対象とした国際共同第Ib/II相臨床試験の日本における治験計画届書を提出し、第Ib相臨床試験を開始。今後もPOCデータの確立をベースとして、臨床開発プラットフォームの構築を目指し、他の適応症に対する臨床開発を進めてまいります。

### ■ 非臨床試験

現在、著名な研究機関との主な共同研究開発として主に下記を推進しており、共同研究成果の学会発表も積極的に行なわれております。

#### 米国国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) □

EBウイルスの関連疾患であることが近年証明された難病の多発性硬化症について、多発性硬化症の病態に対するBCVのEBウイルスを介した効果を検討し、今後の臨床試験の実施に向けて必要とされる情報を得ることを目的として共同研究開発契約 (CRADA : Cooperative Research and Development Agreement) を締結 (2023年3月)、欧州多発性硬化症学会において、CRADAによる最初の研究成果を学会発表 (2023年10月)

#### 米国国立アレルギー・感染症研究所 (NIAID)

EBウイルス関連リンパ増殖性疾患に対するBCVの有効性を評価することを目的とし、CRADAを締結 (2023年4月)

#### 米国タフツ大学

アルツハイマー型認知症を含めた様々な脳神経領域の重篤性疾患に、潜伏しているウイルスの再活性化による感染の関与についての研究がこの数年進んでおり、米国タフツ大学により確立されたヒト神経幹細胞を培養し脳組織を三次元に模倣した単純ヘルペスウイルス (HSV) 感染・再活性化モデルを用いて、HSV感染に対するBCVの効果を検証するための委託研究契約 (Sponsored Research Agreement) を締結 (2022年12月)

#### シンガポール国立がんセンター

細胞や動物モデルにおいてNK/T細胞リンパ腫に対するBCVの抗腫瘍活性が確認され、学会で結果発表 (2022年12月米国血液学会・2023年6月国際リンパ腫会議・2024年6月欧州血液学会)

#### ペンシルベニア州立大学

ポリオーマウイルス、特にJCウイルスは、dsDNAウイルスの中でも、その感染によって脳に重篤な疾患を引き起こすことが知られており、既存の抗ウイルス薬ではほとんど効果が見られないため、有効な治療薬の開発が待ち望まれています。2022年11月に米国ペンシルベニア州立大学医学部との間で試料提供契約 (MTA : Material Transfer Agreement) を締結し、ポリオーマウイルス感染マウスモデルにおけるBCVの抗ウイルス活性を検証する非臨床試験を実施しています。また、2024年7月には、その研究成果の第一報として、新た

な知見が mBio 誌に公表されました。

また、カリフォルニア大学サンフランシスコ校などとの間で、他のがん種に関しても抗腫瘍活性を確認するための共同研究が進行中

#### ■ ライセンス

2019年9月、シンバイオは、Chimerix, Inc. (キメリックス社、本社：米国ノースカロライナ州)との間で、BCV に関して、オルソポックスウイルス (天然痘やエムポックスなど)を除いたすべての疾患で世界全域対象の開発・販売・製造を含めた独占的権利の取得を目的とするライセンス契約を締結しました。なお、2022年9月にキメリックス社から BCV のライセンスを譲渡された Emergent BioSolutions Inc (エマージェント・バイオソリューションズ社、本社：米国メリーランド州)とライセンス契約を締結しています。

なお、錠剤および経口懸濁液 (経口剤) は、2021年6月4日に天然痘の治療薬として成人および新生児を含む小児の患者を対象に米国で承認され、現在はエマージェント・バイオソリューションズ社がライセンスを保持しています。また、BCV は EU (欧州連合) における免疫不全患者におけるアデノウイルス感染症とサイトメガロウイルス感染症予防に対するオーファンドラッグ (希少疾病用医薬品) 指定を受けています。

#### 【当会社概要】

シンバイオ製薬株式会社は、米国アムジェン社元副社長で、旧アムジェン株式会社の実質的な創業者である吉田文紀が 2005年3月に設立した医薬品企業です。経営理念は「共創・共生」(共に創り、共に生きる)で表され、患者さんを中心として医師、科学者、行政、資本提供者を「共創・共生」の経営理念で結び、満たされない医療ニーズに応じてゆくことにより、社会的責任及び経営責任を果たすことを事業目的としています。