



本リリースは Poxel 本社が 2021 年 12 月 7 日に発表したもので、オリジナルは英語です。翻訳版である本リリースは、読者の便宜を図る目的で提供されるものであり、法的効力を持ちません。翻訳言語版を資料としてご利用になる際には、オリジナル言語版を照合いただくようお願い致します。

Press Release

報道関係者各位

2021 年 12 月 7 日

Poxel SA

Poxel社、希少代謝性疾患対象 サイエンティフィック・アドバイザリー・ボード（SAB）の 発足を発表

フランス リヨン発、2021年12月6日 -- 非アルコール性脂肪肝炎（NASH）および希少・慢性重篤疾患に対する革新的な治療薬の開発に注力するバイオ医薬品企業であるPOXEL SA（本社：フランス リヨン、CEO：Thomas Kuhn、以下「Poxel社」）はこのたび、希少代謝性疾患を対象とするサイエンティフィック・アドバイザリー・ボード（以下「SAB」）の発足を発表しました。当SABはまず、Poxel社のX連鎖性副腎白質ジストロフィー（ALD）の治療薬開発プロジェクトにフォーカスします。

Poxel 社 CSO（チーフ・サイエンティフィック・オフィサー）の David E. Moller（MD）は、次のように述べています。

「当社の希少代謝性疾患 SAB に、このような優秀な科学的オピニオンリーダーの一団をお迎えできることを大変喜ばしく思います。ALD をはじめとする希少代謝性疾患は、アンメット・メディカル・ニーズが極めて高い領域で、現状では確立された治療法がないか、治療選択肢が非常に限られています。希少代謝性疾患の治療法開発という当社使命のさらなる前進に向け、当社の創薬や臨床開発段階のプロジェクトに対し、本領域の権威である SAB の助言や豊富な知見が大きな力となることが期待され、大変ありがたく思います。今後もこの権威の方々と協働し臨床開発プロジェクトを進めてまいります。まず、新しい重水素修飾チアゾリジンジオン（dTZD）化合物である PXL065 と、ファーストインクラスの直接的アデノシリン酸活性化プロテインキナーゼ（AMPK）アクチベーターである PXL770 を用いた、ALD 対象の第 II a 相試験を、2022 年前半から開始する予定です。」

当社は先般、初の希少代謝性疾患を対象とした SAB 会合を開催し、上述の 2 つの POC（概念実証）第 II a 相試験デザインをはじめ、当社の開発化合物の可能性や、ALD に関するプロジェクトの将来について議論を行いました。

希少代謝性疾患SABのメンバーは以下のとおりです：

Prof. Florian Eichler, MD：神経系に影響を及ぼす代謝性病態生理を伴う遺伝性疾患の専門家。





Harvard University（ハーバード大学、米国）とJohns Hopkins University（ジョンズ・ホプキンス大学、米国）にて小児神経学と神経遺伝学を修め、現在Massachusetts General Hospital (MGH), Harvard Medical School（ハーバード大学医学大学院マサチューセッツ総合病院、米国）で、Rare Neurologic Disorders（希少神経疾患センター）・Leukodystrophy Service（白質ジストロフィー部門）のディレクターを務める。主な研究テーマは、ペルオキシソーム病の遺伝学、脂質代謝、神経変性疾患の遺伝子治療など。また、米国のALD患者団体であるALD Connectのプレジデントも務めている。

Prof. Marc Engelen, MD, PhD : Amsterdam University Medical Centers（アムステルダム大学メディカルセンター、オランダ）で臨床研究に従事。小児神経学、消化器学、内分泌学、特にペルオキシソーム病と白質ジストロフィーを専門とする。同大学にてMDとPhDを取得。Prof. Stephan Kemp（後述）の研究チームと共同で、ALDをはじめとする神経代謝疾患の検出、診断、モニタリングの新しいアプローチを発表している。

Prof. S. Ali Fatemi, MD : 小児神経学および神経代謝疾患を専門とする医師・科学者であり、当該分野の権威。Medical University of Vienna（ウィーン医科大学、オーストリア）およびKennedy Krieger Institute, Johns Hopkins University（ジョンズ・ホプキンス大学ケネディ・クリーガー研究所、米国ボルチモア）で研鑽を積み、現在、同研究所のチーフ・メディカル・オフィサーを務める。ALDの病態生理に関する基礎研究およびトランスレーショナル・リサーチに注力。

Prof. Stephan Kemp, PhD : 遺伝性神経代謝疾患のトランスレーショナル・リサーチの専門家。Johns Hopkins University（ジョンズ・ホプキンス大学、米国）、Kennedy Krieger Institute（ケネディ・クリーガー研究所、米国）、University of Amsterdam（アムステルダム大学、オランダ）で研鑽を積み、その後現在に至るまでアムステルダム大学で長年後進の育成にあたる。特に脂質代謝と神経毒性の研究を専門とし、ALDの病態生物学に関する重要な論文を多数発表。オランダでは、希少代謝性疾患の新生児スクリーニングにも注力。

Prof. Fanny Mochel, MD, PhD : 先天性代謝異常の専門家。University Pierre and Marie Curie（ピエール・マリー＝キュリー大学、フランス）で遺伝学と神経科学を修め、現在は同大学の遺伝学の教授。National Reference Center on NeuroMetabolic Diseases in Adults（国立成人代謝疾患リファレンスセンター、フランス）で主導的な役割を担う。French Society for Inborn Errors of Metabolism in Adults（成人先天性代謝異常学会、フランス）共同議長、Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism（先天性代謝異常研究会、フランス）評議員。主な研究テーマは、神経代謝疾患における脳のエネルギー欠乏の特性評価と治療、新規バイオマーカーの同定、メタボロミクスと*in vivo*代謝イメージング、クレブス回路を標的とした治療法など。

Dr. Jaspreet Singh, PhD : 神経科学の研究者。ALDの病態生理、神経炎症、バイオマーカーの開発と新規治療法の検証を専門とする。インド、およびMedical University of South Carolina（サウスカロライナ医科大学、米国）で研鑽を積み、現在、Department of Neurology, Henry Ford Health System（ヘンリー・フォード・ヘルス・システム神経科部門、米国デトロイト）で後進の指導にあたる。

Prof. Keith Van Haren, MD : 小児神経科医、ALDの専門家。University of Rochester Medical School（ロチェスター大学医学部、米国）、Harvard Medical School（ハーバード大学医学大学院、



米国)、Stanford University (スタンフォード大学、米国) にて医学の専門教育を受ける。Neurology and Neurological Sciences, Stanford University (スタンフォード大学医学部神経学・神経科学科) 教授。ALD治療例多数。単一遺伝子変異とそれに伴うヒトの神経炎症の分子メカニズムの研究チームリーダー。

X 連鎖性副腎白質ジストロフィー (ALD) について

X 連鎖性副腎白質ジストロフィー (ALD) は、ペルオキシソーム (細胞内小器官) による極長鎖脂肪酸 (VLCFA) の代謝に必要な重要なタンパク質をコードする ABCD1 遺伝子の変異によって引き起こされる、重度の身体障害を伴う希少神経代謝疾患です。ALD は最も一般的な白質ジストロフィーで、血友病と同等の有病率であり、一般人口の 10,000 人に 1 人が ALD であると言われています [\[https://rarediseases.org\]](https://rarediseases.org)。ALD の病態には、副腎不全、脳性 ALD (C-ALD)、そして最もよくみられる副腎脊髄ニューロパチー (AMN) の病型が含まれており、一般的には青年期から成人期にかけて発症します。AMN は、脊髄の長索路に加えて、疾患の重症度は軽いながらも、末梢神経にも及ぶ慢性かつ進行性の遠位軸索障害が特徴です。その結果、進行性の脚の硬直や脱力感、歩行障害やバランス感覚の低下、失禁、感覚の喪失などを引き起こします。すべての男性の AMN 患者にこのような症状がみられ、多くの女性患者にも、より後に同様の AMN の症状が発症します。C-ALD は、脳内細胞の炎症性脱髄を特徴とし、一般的に小児が罹患しますが、男性の AMN 患者の多くも大脳病変を発症することがあり、これらの白質脳病変は重度の神経障害と死につながります。ALD を適応症として承認された医薬品はありません (随伴性副腎機能不全に対するグルココルチコイド補充療法を除く)。C-ALD が幼児期に発見された場合、造血幹細胞移植による治療が可能です。造血幹細胞移植は現在、C-ALD の初期段階に限られており、この方法は重篤な副作用が発現するリスクがあります。

Poxel SA について

Poxel SA (Poxel 社) は、非アルコール性脂肪肝炎 (NASH) や希少疾患を含む代謝病態を伴う慢性重篤疾患を対象に、革新的な治療薬の開発に注力するバイオ医薬品企業であり、すでに臨床使用されている製品もあります。Poxel 社は、アデノシン-リン酸活性化プロテインキナーゼ (AMPK) アクチベーターおよび重水素修飾チアゾリジンジオン (dTZD) の各プラットフォームを発展させ、慢性・希少代謝性疾患を対象とした臨床及び早期開発段階プログラムを進めています。PXL065 はピオグリタゾンの R-立体異性体 (重水素修飾単一 R-立体異性体) です。同剤につき、NASH を対象とした、洗練され合理化された第 II 相臨床試験 (DESTINY1 試験) を開始しました。

PXL770 は、AMPK のファーストインクラスの直接的アクチベーターです。同剤は、NASH を対象とした前期第 II 相臨床試験の POC (概念実証) 試験で、主要評価項目および試験目標を達成しました。また、遺伝性希少代謝疾患である副腎白質ジストロフィー (ALD) について、副腎白質ジストロフィー (AMN) の患者を対象とした PXL065 と PXL770 の第 II a 相の概念実証試験を開始する予定です。Poxel 社のファーストインクラスの主力製品である、ミトコンドリア機能障害を標的とするツイミーグ® (イメグリミン塩酸塩) は、日本で 2 型糖尿病 (T2DM) の治療薬として承認されています。当承認により、Poxel 社は大日本住友製薬から販売額に応じた支払いおよびロイヤリティを受け取る予定です。なお、Poxel 社はイメグリミン塩酸塩について大日本住友製薬との間で、日本、中国、韓国、台湾、その他東南アジア 9 カ国における戦略的パートナーシップを結んでいます。当社は、今後も戦略提携やパイプ



ラインの開発により、さらなる成長を目指します。フランスのユーロネクストに上場しており、フランス リヨン市の本社以外に、米国ボストン市および東京に子会社を設立しています。詳細については、<https://www.poxelpharma.com/ja> をご覧ください。

本プレスリリースで記載されている過去の事実を除く将来予想に関する記述は、①通知することなく変更することがあり、②当社の管理の及ばない要素に左右される場合があります。これらの記述には、これに限りませんが、「目標とする」、「信じる」、「期待する」、「目指す」、「意図する」、「する可能性がある」、「予定する」、「見込む」、「予測する」、「計画する」、「予想する」、「する」、「示唆する」、「するはず」およびその他類似した言葉や反対語で始まる、終わる、もしくは使用する表現を含みます。将来に関する記述は、さまざまなリスクや当社の管理が及ばない不確定要素に左右され、明示または暗示された当社の予測とは大幅に異なる場合があります。

プレスリリース原文はこちらをご覧ください：

https://www.poxelpharma.com/en_us/news-media/press-releases/detail/202/poxel-announces-the-formation-of-its-scientific-advisory

###

本件に関するお問い合わせ
PR／メディアー日本／アジア
株式会社コスモ・ピーアール
担当：中村
poxel@cosmopr.co.jp
TEL：03-5561-2915