



2023年6月27日
UBE株式会社
HiLung株式会社

HL001の米国FDA希少疾病用医薬品指定取得について

UBE株式会社（本社：山口県宇部市、代表取締役社長：泉原 雅人、以下「UBE」）とHiLung株式会社（本社：京都府京都市、代表取締役社長：山本 佑樹、以下「HiLung」）は、この度、共同開発を行っているリゾホスファチジン酸受容体1（LPA1）選択的アンタゴニスト（開発コード：HL001、以下「本化合物」）について、米国FDA（医薬食品庁）より希少疾病用医薬品指定（Orphan Drug Designation、以下「ODD」）を取得しましたので、お知らせいたします。

本化合物は、本邦でも指定難病に含まれる特発性肺線維症（IPF）への適応をめざし、AMED（（研 発）日本医療研究開発機構）のご支援（創薬支援推進事業・希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業）をいただき開発を進めている新規医薬品候補です。IPFは一般に慢性進行性で肺の線維化と肺活量の低下を来し、平均的には診断後5年程度で半数の患者さまが死に至るとされ、肺機能を回復させる治療法が肺移植しかないアンメットニーズの高い疾患です。米国でも本邦同様に希少難治性疾患の位置づけとなるこのIPFへの開発に際し、今般ODDを本化合物に関して取得いたしました。ODD取得に際して必要となる有効性の蓋然性の根拠には、HiLungが独自に開発したヒト外挿性の高い肺オルガノイド線維化伸縮アッセイでの評価結果も含んでおり、臨床データ（ヒトでの治験データ）がない時点での指定に至りました。これにより、米国新薬承認申請時の申請費用の免除、臨床開発に係る連邦税の減免など、FDAからの各種薬事・研究費支援などの開発優遇・促進策が米国にて活用可能となるとともに、承認後には米国における7年間の排他的先発販売権が与えられ、希少疾患における医薬品開発を加速する上で重要となる、多国間での多施設臨床試験に向けて、大きな一歩となります。

UBEとHiLungは2021年3月に共同研究契約、2022年3月に共同開発契約を締結し、UBEが有する有機合成力に支えられた創薬・合成技術と、HiLungが有するヒトiPS細胞由来呼吸器細胞モデルを含む呼吸器領域における知見とを活かし、本化合物の開発を続けてまいりました。慢性疾患であるがゆえの日常的な使用が容易となるよう、患者さまの目線に立った開発を続けており、今般の米国ODDもそうした患者ニーズに応え得る候補品たる位置づけの証左として、臨床試験そして上市に向けた取り組みを加速してまいります。

今回の米国ODD取得により、両社はより一層強い協力体制を築き、それぞれの強みを活かして本化合物の開発・グローバル導出を加速し、一日でも早く患者さまにお届けできるよう努めてまいります。

[ご参考]

[LPA1 選択的アンタゴニスト HL001 に関する共同開発契約締結について \(2022 年 3 月 28 日\)](#)

UBE 株式会社について

UBE の医薬事業は、スペシャリティ化学を志向する UBE グループにおいて、ライフサイエンス分野の中核事業となるべく、創薬研究事業においては従来の低分子医薬品の他、ADC (抗体薬物複合体) などの高付加価値創薬に挑戦しております。また、CDMO 事業では既存の低分子医薬品分野を拡充すると共に、核酸医薬品等の新規モダリティの製造技術獲得などを通じて、人々の生命・健康を守る手段を提供してまいります。 <https://www.ube.co.jp>

HiLung 株式会社について

HiLung 株式会社は、ヒト iPS 細胞を用いた肺細胞の分化誘導・加工をコア技術として、呼吸器疾患に対する進歩的な治療の開発を加速させるために創設されました。

ヒト iPS 細胞技術に基づき作成されたヒト生体再現性が極めて高いヒト正常呼吸器モデル、およびヒト呼吸器疾患や呼吸器感染症モデル、さらには AI やデバイスによる解析技術を組み合わせることで、動物実験では代替できないヒトでの安全性や有効性が期待できる治療薬候補を予測・選別する大規模プラットフォームを提供して参ります。このような基盤技術を通して、新たな医薬品や治療法の開発を加速させることで、呼吸器疾患が治り「誰もが気持ちよく呼吸できる未来」の実現に向けて事業を展開しております。

"Translating Human Inspirations." – <https://www.hilung.com/>

[お問い合わせ先]

UBE ウェブサイト お問い合わせフォーム :

<https://www.ube.co.jp/ube/Inquiry/Form/InquiryIrprAgree>

HiLung 社 お問い合わせ先 :

HiLung 株式会社 コーポレート室

pr@hilung.com