



2021年5月25日

各位

会社名 株式会社ジーンテクノサイエンス
代表者名 代表取締役社長 谷 匡 治
(コード番号：4584 東証マザーズ)
問合せ先 執行役員 栄 靖 雄
経営管理本部長
(TEL. 03-6222-9547)

自家心臓内幹細胞（開発番号：JRM-001）の希少疾病用再生医療等製品への指定 再生医療等製品・生物由来技術部会です承

この度、当社及び当社の完全子会社である株式会社日本再生医療（以下、「JRM」といいます。）が開発を進める自家心臓内幹細胞（当社開発番号：JRM-001）は、2021年5月24日に開催された厚生労働省薬事・食品衛生審議会再生医療等製品・生物由来技術部会において、希少疾病用再生医療等製品^{※1}への指定が了承されましたのでお知らせいたします。本指定は、機能的単心室症^{※2}の治療を目的としたものであり、今後「JRM-001」は、厚生労働省での手続きを経て、正式に希少疾病用再生医療等製品に指定される予定です。

- ※1 希少疾病用再生医療等製品は、医薬品医療機器法第77条の2に基づき、対象患者数が我が国において5万人未満であること、代替する適切な治療法が無い、既存の治療法と比較して著しく高い有効性または安全性が期待されるなどの医療上、特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。当該指定を受けた場合には、優先的な治験相談および優先審査の実施、再審査期間の延長等の優遇措置が受けられます。
- ※2 機能的単心室症は左右両心室をそれぞれ体循環または肺循環に分担させられないと判断される心血管構築異常です。JRM-001は、患者様自身の心臓組織から分離・培養した心臓内幹細胞の懸濁液であるヒト（自己）体性幹細胞加工製品であり、外科的修復術後の機能的単心室症患者の冠動脈内に心臓カテーテルで移植し、患者の心機能を改善させることが期待されます。

機能的単心室症に対する心臓内幹細胞を用いた治療法については、既に岡山大学においてヒト幹細胞臨床研究として実施された第1相臨床試験及び第2相臨床試験において、その安全性と有効性を示唆する研究成果が報告されており、JRMは、その成果に基づき、第3相臨床試験「小児先天性心疾患患者に実施する外科的修復術後の心機能に対するJRM-001移植の有効性及び安全性評価試験」を実施しています。

この度の再生医療等製品・生物由来技術部会での了承を受け、希少疾病用再生医療等製品に指定された際は、当社は上述の優遇措置等を最大限に活用し、臨床試験をこれまで以上に加速させながら、本再生医療等製品を待ち望んでいる患者様へ、一日も早く新たな医療をお届けできるよう努めてまいります。

なお、本件に伴う当社の2022年3月期の業績への影響は軽微の見通しです。

以上