



2021年12月9日

各位

会社名 クリングルファーマ株式会社
代表者名 代表取締役社長 安達 喜一
(コード番号: 4884 東証マザーズ)
問合せ先 取締役経営管理部長 松浦 裕
(TEL. 072-641-8739)

ALSを対象とする第Ⅱ相試験(医師主導治験)の最終観察日終了に関するお知らせ

当社が開発している組換えヒト HGF タンパク質(開発コード: KP-100IT)について、現在、東北大学病院と大阪大学医学部附属病院において ALS 患者を対象とする第Ⅱ相試験(東北大学医学部脳神経内科青木正志教授を治験調整医師とする医師主導治験、以下「本治験」)が実施されておりますが、この度、最終症例の最終観察日が終了した旨の連絡がありましたので、お知らせいたします。

本治験は、ALS 患者に対して KP-100IT を脊髄腔内投与することによる有効性及び安全性を検証するプラセボ対照二重盲検比較試験です*。本治験では、盲検下で治験薬(実薬もしくはプラセボ)を投与する二重盲検期(6ヶ月)に続いて、希望する患者全員に実薬を投与する継続投与期(6ヶ月)が設定されており、患者への投与期間は最長で1年間に及びます。本治験の患者組入れは2020年11月に完了しておりますが、この度、最後の患者の投与期間が経過し最終観察日が滞りなく終了いたしました。今後、全てのデータを収集し、データ解析が行われます。当社は治験薬提供者という立場上、データ解析には関与しないことになっております。解析が終了後、東北大学よりデータ開示を受けましたら結果を開示させていただきます。

なお、本件は計画通りの進捗であり、2022年9月期業績への影響はありません。

*本治験の概要は、UMIN 臨床試験登録システムに登録されております(UMIN 試験 ID: UMIN000022050)。

ALS(筋萎縮性側索硬化症)について:

ALSは、運動神経の変性によって徐々に体が動かなくなる神経難病の象徴的な疾患です。国内では現在約1万人の患者さんが難病指定を受けております。ALSの発症要因は遺伝によるもの、グルタミン酸毒性によるもの、原因不明のものと同様ですが、運動神経細胞が障害を受け脱落することにより筋肉の萎縮が起こることが共通する現象であるため、運動神経細胞を保護することが治療効果につながると考えられます。HGFの神経細胞に対する保護作用、軸索伸展の促進作用はALSの治療につながると期待されます。

HGF(Hepatocyte Growth Factor, 肝細胞増殖因子)について:

HGFは、成熟肝細胞の増殖を促進する生体内タンパク質として日本で発見されました。その後の研究から、HGFは細胞増殖に加えて細胞運動促進、細胞死抑制、形態形成誘導、抗線維化、血管新生などマルチな生理活性を有し、肝臓のみならず、神経系、肺、腎臓、心臓、皮膚など様々な組織・臓器の再生と保護を担うことが明らかになりました。

クリングルファーマ株式会社について：<https://www.kringle-pharma.com/>

「難治性疾患治療薬の研究開発を行い、難病に苦しむ患者さんに対して画期的な治療手段を提供し、社会に貢献すること」を企業理念として、HGF タンパク質製剤の医薬品開発を中心に事業を進めています。現在、神経難病の象徴的疾患である脊髄損傷急性期、ALS 及び線維化疾患の一種である声帯癒痕を対象にレイトステージの臨床試験を推進しています。当社は、HGF タンパク質性医薬品の社会実装を通じて新たな価値を創造し、人々の健康と幸せに貢献してまいります。

以上