



2023年10月2日

各位

会社名 クリングルファーマ株式会社  
住所 大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号  
彩都バイオインキュベータ207  
代表者名 代表取締役社長 安達喜一  
(コード番号: 4884 東証グロース)  
問い合わせ先 取締役経営管理部長 村上浩一  
TEL. 072-641-8739

### 脊髄損傷急性期を対象とする第Ⅲ相臨床試験の最終観察日終了に関するお知らせ

当社は現在、脊髄損傷急性期患者に対して組換えヒト HGF タンパク質製剤（開発コード：KP-100IT）を投与する第Ⅲ相臨床試験（多施設共同非ランダム化試験、目標症例数 25 例、以下「本治験」）を実施しておりますが、本日までに、本治験における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。

今後は、本治験の全データを収集し、データ固定後に有効性及び安全性データの解析・評価を行い、試験結果のトプラインデータ\*を 2024 年前半に公表する予定です。

当社代表取締役社長 安達喜一は次のようにコメントしております。

「本治験は、コロナ禍の極めて困難な状況下で実施されました。本治験にご協力いただきました患者様やそのご家族の皆さまはもとより、治験実施医療機関の先生方及びスタッフの皆さまのご協力に厚くお礼申し上げます。脊髄損傷急性期のアンメット医療ニーズは非常に大きく、有効で安全な新規医薬品の開発が強く望まれています。本治験のデータを早急に取りまとめ、速やかに PMDA（医薬品医療機器総合機構）と薬事承認申請に向けた協議を開始したいと考えております。HGF 医薬品によって脊髄損傷急性期の患者様の障害を少しでも軽減できれば、その後のリハビリテーションや開発中の細胞移植療法により更なる運動機能の回復も期待できます。当社は、一刻も早い HGF 医薬品の薬事承認取得を目指して全力を尽くしてまいります。」

なお、本件による業績への影響はございません。

\*トプラインデータとは、臨床試験結果の要約や概要を示す主要な数値データや情報のことを指し、総括報告書の完成よりも前に臨床試験の主要な成果を簡潔に報告するために用いるデータです。

#### 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、血管新生など多彩な生理活性を有し、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。

HGF は神経保護作用や軸索伸展作用も有し、神経難病とされる脊髄損傷に対する薬理効果は、慶應義塾大学医学部生理学教室 岡野栄之教授及び整形外科学教室 中村雅也教授らのグループの研究により明らかにされており、新たな脊髄損傷治療薬として、HGF への期待が高まっています。

他方、京都府立医科大学耳鼻咽喉科・頭頸部外科学教室 平野滋教授らのグループは、HGF の抗線維化

作用に着目し、線維化疾患である声帯癒痕に対する薬理効果を明らかにしました。HGF には、声帯癒痕を端緒として、他の線維化疾患への適応拡大の可能性が期待されています。

### 脊髄損傷について

脊髄の外傷による損傷のことで、受傷原因は平地転倒・交通事故・転落などの順に多いとされています。近年は、人口の高齢化に伴い、転倒による受傷が増加傾向にあります。国内では、年間に約6千人の脊髄損傷患者が発生しており、慢性期までを含めた患者総数は10~20万人と言われております\*。適切な初期治療と専門的リハビリテーションにより一定の回復が望めますが、運動麻痺や筋の痙攣、拘縮、知覚麻痺、体幹内臓機能不全（膀胱直腸障害、発汗体温調節機能障害、内臓機能低下、呼吸機能低下）などの複合した重度の後遺障害が残る場合が多く、治療薬の開発が強く望まれています。

\*出典：Miyakoshi N et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.

坂井宏旭ら「わが国における脊髄損傷の現状」(2010)

当社は、本治験と並行して、2021年2月10日付け当社プレスリリースの通り、慶應義塾大学医学部生理学教室 岡野栄之教授及び同大学医学部整形外科学教室 中村雅也教授と新規の脊髄損傷治療に関する共同研究（以下、「本研究」）を進めております。本研究においては、慶應義塾大学が保有するiPS細胞由来神経幹/前駆細胞と当社が開発するHGFを併用することにより、脊髄損傷の各ステージ（急性期、亜急性期、慢性期）にあわせた最適な次世代治療法の開発を目指しております。これまでに脊髄損傷モデル動物において顕著な機能回復を確認し、本研究の成果として以下の2件の特許を共同出願しております。詳細はそれぞれに関する当社プレスリリースをご参照ください。

・慢性期脊髄損傷の治療剤に関する特許出願（2023年3月13日付け当社プレスリリース）

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4884/tdnet/2250478/00.pdf>

・急性期から亜急性期までを対象とする脊髄損傷治療剤に関する特許出願（2023年9月8日付け当社プレスリリース）

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4884/tdnet/2335691/00.pdf>

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

当社は「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、希少疾病を対象にHGFタンパク質医薬品の自社開発を推進するバイオベンチャー企業です。

現在、当社が有するHGFタンパク質医薬品の開発パイプラインでは、脊髄損傷急性期を対象とする開発と、声帯癒痕を対象にした開発の2つのいずれもが、それぞれ医薬品開発の最終段階である第Ⅲ相臨床試験に進んでおります。

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