



2025年4月2日

各位

会社名 クリングルファーマ株式会社
住所 大阪市北区中之島四丁目3番51号
Nakanoshima Qross 未来医療R&Dセンター10階
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. 06-7653-6728

ALS を対象とする第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験）の追加解析： 東北大学との共同研究延長のお知らせ

当社は、国立大学法人東北大学（宮城県仙台市）と、筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者に対して組換えヒト HGF タンパク質製剤を投与する第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験、以下「本治験」）の追加解析として、検体試料のバイオマーカー解析に関する共同研究（以下「本研究」）を実施しております。（2024年4月19日付け当社プレスリリース参照）。この度、本研究を2025年9月末まで半年間延長しましたので、お知らせいたします。

当社は、東北大学大学院医学系研究科神経内科学分野の青木正志教授、割田仁准教授らとともに、ALSを対象とする HGF タンパク質の医薬品開発を進めてきました。本治験は、プラセボ対照二重盲検比較試験として実施されましたが、主要及び副次評価項目に関して統計学的な有意差は得られませんでした（2022年8月12日付け当社プレスリリース参照）。一方、HGF 投与群において進行が遅い症例も認められたことから、検体試料を用いて神経変性や神経炎症のバイオマーカーを測定し、HGF 投与による効果を検証することによって、効果の検出しやすい患者集団の特定など、次相試験のデザイン策定に重要な情報が得られることが期待されます。

なお、本件による当社の業績へ与える影響はありません。

以上

筋萎縮性側索硬化症（ALS）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います。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（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因子として発見された生理活性タンパク質であり、その後の研究から細胞増殖のみならず、細胞運動促進、抗細胞死、形態形成誘導、血管新生など様々な組織・臓器の再生と保護を担う多才な生理活性を有することが明らかにされました。

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

大学再生医療リサーチセンター 岡野栄之教授及び整形外科教室 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います。また、ALS に対する薬理効果は、東北大学大学院医学系研究科神経内科学分野 青木正志教授らのグループの研究により示されました。新たな神経難病治療薬として、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癬痕に対する薬理効果を明らかにしました。HGF には、声帯癬痕を端緒として、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。

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、HGF タンパク質医薬品のレイトステージ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が第Ⅲ相臨床試験を終了し、製造販売承認申請に向けた準備を進めています。声帯癬痕を対象とする開発は第Ⅲ相臨床試験を実施中です。

当社は、HGF タンパク質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。