

2025 年 4 月 25 日

各 位

会 社 名 株式会社リプロセル
代 表 者 名 代表取締役社長 横山 周史
(コード番号：4978、東証グロース市場)
問 合 せ 先 経営管理部 GM 山根 幸司
(TEL. 045-475-3887)

提携先である Stement Biotherapeutics Inc. による脊髄小脳失調症治療薬「Stemchymal®」の 台湾の第 II 相臨床試験結果発表に関するお知らせ

当社が、日本における独占的商業化ライセンス契約を締結している脊髄小脳失調症（SCA）を対象とした幹細胞治療薬「Stemchymal®」（以下、ステムカイマル）について、Stement Biotherapeutics Inc.（本社：台湾、以下ステミネント社）が、2025 年 4 月 24 日、本剤に関する台湾及び日本における第 II 相臨床試験の良好な結果を発表しましたので、お知らせいたします。

ステミネント社のリリース：https://stement.com/news/view2?news_category_id=3&news_id=13&page=1

本発表は、2025 年 4 月 22 日から 24 日にかけて米国で開催された世界希少疾病薬会議（World Orphan Drug Congress: WODC）において、ステミネント社の臨床科学顧問である Kurt Gunter 博士（元 FDA）により行われました。

発表された臨床試験結果の概要

1. 対象疾患・薬剤：脊髄小脳失調症（SCA）に対する幹細胞治療薬ステムカイマル
2. 試験デザイン（台湾）：ランダム化、二重盲検、プラセボ対照比較試験
3. 対象患者（台湾）：SARA スコア（※1）が 9 点以上の中等度から重度の SCA3 型患者 56 名
4. 投与方法：ステムカイマルまたはプラセボを静脈内に 3 回投与
5. 評価項目：SARA スコア及び fSARA スコア（※2）を用いた有効性の評価
6. 主な結果：
 - ステムカイマル投与群において、複数の評価項目で疾患進行を抑制する効果が明確に示されました。
 - 投与 1 年後の追跡調査において、ステムカイマル投与群ではプラセボ群と比較して SARA スコアの上昇（悪化）が緩やかでした。一部の患者では SARA スコアが 1 点以上改善する結果もみられ、これは第 I 相臨床試験で観察された結果と同様でした。
 - Gunter 博士は、未治療の SCA3 患者の SARA スコアは年間平均 1.5～1.6 点（米国及び欧州のデータでは年間平均 1.41 点）悪化すると指摘しており、今回の結果はステムカイマルが神経変性の進行を抑制し、病状を安定化させる可能性を裏付けるものとなりました。
 - これらの結果は、異なる人種グループを含む日本人患者を対象とした臨床試験においても同様に確認されました。
7. 今後の予定：ステミネント社は、5 月初旬に米国で開催される国際細胞・遺伝子治療学会（International Society for Cell & Gene Therapy: ISCT）の年次総会に参加し、カリフォルニア大学ロサンゼルス校（UCLA）臨床神経学教授である Susan Perlman 博士が主導した追加の臨床データを発表する予定です。

ステミネント社 Ling-Mei Wang 社長のコメント

「世界希少疾病薬会議及び国際細胞・遺伝子治療学会で発表することにより、世界的にステムカイマル認知度を高めたいと考えています。今回の良好な臨床試験結果に基づき、台湾及び日本の両国において本剤の条件期限付き承認を目指す方針です。さらに、米国、欧州、東南アジアへのライセンス活動も積極的に展開してまいります。」

当社は、ステムカイマルの日本における独占的商業化権を有しており、今回の台湾における良好な第 II 相臨床試験結果の発表は、日本国内における本剤の開発及び商業化に向けた取り組みを力強く後押しするものと考えております。

当社は、引き続きステミネント社と緊密に連携し、脊髄小脳失調症に苦しむ日本の患者様へ一日も早く新たな治療選択肢をお届けできるよう、事業開発を推進してまいります。今後の進捗につきましては、適時適切に開示してまいります。

用語解説

※1 SARA スコア (Scale for the Assessment and Rating of Ataxia) : 運動失調の重症度を評価するための国際的な標準指標。点数が高いほど重症であることを示す。

※2 fSARA スコア : SARA スコアを機能的な側面からより詳細に評価するために開発された新しい指標。

以上