



2023年7月4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組換えヒト HGF タンパク質の開発費用に対する 希少疾病用医薬品試験研究助成金の2023年度交付決定に関するお知らせ

当社は、脊髄損傷急性期を対象とする組換えヒト HGF タンパク質製剤 (KP-100IT) の開発を推進しており、引き続き国内で第Ⅲ相臨床試験を実施しております。本開発品は、厚生労働大臣の承認を受け 2019年9月12日付けで希少疾病用医薬品\*として指定され (指定番号 (31 薬) 第 442 号)、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所から希少疾病用医薬品試験研究助成金の交付を受けております。この度 2023 年度につきましても、本助成金の交付を受けることが決定しましたのでお知らせいたします。正式な交付金額は 2024 年 9 月期に確定する見込みであり、確定した後に速やかにお知らせいたします。

なお、本件による 2023 年 9 月期の業績予想への影響はありません。

\*希少疾病用医薬品：医薬品医療機器法第 77 条の 2 に基づき、対象患者数が本邦において 5 万人未満であること、医療上特にその必要性が高いこと、開発の可能性が高いこと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。希少疾病用医薬品に指定されると、助成金の交付、医薬品医療機器総合機構 (PMDA) との優先対面助言や相談手数料の減額、通常品目に比べて承認申請の審査期間が短縮される優先審査、再審査期間の 10 年間の延長などのメリットを享受することができます。

#### 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、慶應義塾大学医学部生理学教室 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。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。

#### 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 万人とされています\*。適切な初期治療と専門的なり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、脊髄損傷急性期を対象とする第Ⅲ相臨床試験と並行して、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」）も進めております。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 及びスキャフォールド（足場基材）の併用療法により、脊髄損傷の慢性期に該当する完全脊髄損傷モデル動物において運動機能と排尿機能の回復に世界で初めて成功し、慶應義塾大学と当社は、共同で特許出願を行いました。

本研究の成果は、これまで最も回復が困難であると考えられていた慢性期の完全脊髄損傷に対する革新的な治療法の確立につながる重要な第一歩となり、脊髄損傷を受傷してから時間が経過しても、運動機能の回復を見込める可能性が広がることとなります。

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、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