

2020年1月22日



各位

会社名 株式会社 ステムリム  
代表者名 代表取締役会長 CEO 富田 憲介  
(コード番号:4599 東証マザーズ)  
問合せ先 取締役経営管理部長 星野 智之  
電話番号 072-648-7152

**栄養障害型表皮水疱症を対象とした骨髄間葉系幹細胞動員医薬 KOI2  
(HMGB1 ペプチド) 臨床試験(第II相医師主導治験)に関する  
2020 国際表皮水疱症会議での発表について**

現在、英国ロンドンにて開催中の2020 EB World Congress (国際表皮水疱症会議)において、当社が「再生誘導医薬」として開発を進めている骨髄間葉系幹細胞動員医薬KOI2(HMGB1ペプチド)について、栄養障害型表皮水疱症患者を対象とした臨床試験(第II相医師主導治験)の結果の発表が2020年1月21日(ロンドン現地時間)に行われましたので、お知らせいたします。

今般の発表においては、2020年1月10日の第41回水疱症研究会と同様に、本治験に参加した栄養障害型表皮水疱症患者全例(9例)解析で、KOI2投与により主要評価項目(全身皮膚の水疱、びらん、潰瘍の合計面積のベースラインからの変化率)の統計学的有意な改善が確認された点についての発表が行われました。また、KOI2投与終了後の最終観察時点(投与終了6か月後)において9例中7例がベースラインを下回る改善を示し、そのうち4例は50%以上の著明な改善を示したことから、栄養障害型表皮水疱症に対するKOI2治療効果の長期持続性が確認されたこと、また副次評価(安全性評価)では懸念となる有害事象は観察されず、栄養障害型表皮水疱症患者におけるKOI2投与の安全性が確認されたことが併せて報告されました。

なお、本発表に対し、国際表皮水疱症会議の主催者で、表皮水疱症治療の世界的な最高権威である Jouni Uitto 教授(米国ジェファーソン医科大学皮膚科学講座主任教授)は、「統計学的有意差をもって全身皮膚の症状が改善したことは、有効な治療法が無い表皮水疱症患者にとって臨床的に高い意義がある。また現在世界中で開発が試みられている表皮水疱症治療の多くが局所療法であり、ペプチド医薬の静脈内投与で骨髄由来間葉系幹細胞を血液中に増やし、全身の皮膚病変のみならず内臓病変に対しても治療効果が期待できる表皮水疱症治療薬の開発は他に類が無く、表皮水疱症の治療薬として大変期待できる。」とのコメントを述べております。

HMGB1ペプチドは投与後短時間で体内で分解し消失することから、効果が薬剤投与終了後6か月間以上と長期に持続していることは、再生誘導医薬により骨髄から血管内に放出された幹細胞が、循環血流を経て損傷部位に集積し長期間にわたりその効果を発揮し続けるという、再生誘導医薬のメカニズムが、表皮水疱症において証明されたと考えられます。

以上