



2022年8月12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

ALSを対象とする第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験）に関するお知らせ（速報）

当社が開発している組換えヒト HGF タンパク質製剤（開発コード：KP-100IT）について、東北大学により実施された筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者を対象とする第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験、以下「本試験」）に関し、東北大学から連絡がありましたのでお知らせいたします。

本試験は、発症後30か月以内であるALS患者（重症度分類1または2）計46症例を対象に、KP-100IT投与による有効性および安全性を確認するプラセボ対照二重盲検比較試験です。KP-100IT（32症例）もしくはプラセボ（14症例）を2週間に1回の頻度で脊髄腔内に投与し、投与観察期24週時点でのALSFRS-Rスコアの変化量を主要評価項目として評価しました。その結果、KP-100IT投与群とプラセボ群の間で統計的な有意差は認められませんでした。また、事前に定めた副次評価項目においても両群間で統計的な有意差は認められませんでした。一方、KP-100IT投与群において進行抑制が認められた症例もあり、本試験結果の解釈には、さらに詳細な解析が必要となります。なお、安全性に関しては、KP-100IT投与群とプラセボ群で有害事象の発現率は同程度であり、忍容性が確認されました。今後の開発の方向性については、東北大学によるさらなる詳細な解析結果を踏まえ、東北大学と協議の上、決定してまいります。

なお、本件による2022年9月期の業績予想への影響はありません。

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。

ALS重症度分類について

厚生労働省特定疾患研究調査において定められたALSの重症度の指標です。軽度の1から重度の5まで5段階に分類されます。

ALSFRS-Rについて

ALS患者の日常生活活動を見るもので、12項目の動作について各々0～4の5段階で点数化するものです。

以 上