



2025 年 7 月 16 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 5 1 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 せ 先 取 締 役 経 営 管 理 部 長 村 上 浩 一
TEL. 06-7653-6728

日本における脊髄損傷急性期治療薬の 承認申請に向けた今後の開発方針について

当社は、国内において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（開発コード：KP-100IT）の第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験及び第Ⅲ相臨床試験を終了し、承認申請に向けて医薬品医療機器総合機構（PMDA）との協議（以下、「本協議」といいます。）を進めてまいりました。本協議で得られました PMDA の知見を踏まえ、当社はこの度、本剤の有効性を検証する臨床試験を追加実施することを決定しましたので、お知らせいたします。

頸髄損傷の完全麻痺患者（AIS 重症度分類 A）を対象とした第Ⅲ相臨床試験において、主要評価項目として設定した AIS 重症度分類 C 以上（2 段階以上）に改善した割合では、統計学的有意差は認められませんでした。AIS 重症度分類 B 以上（1 段階以上）への改善割合は統計学的に有意な高い改善率を示しました。この背景について当社では、第Ⅲ相臨床試験が人々の外出の機会が大きく減少したコロナ禍において実施されたことから、試験対象となった患者の皆様方の受傷ダメージが第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験時と比較してより深刻な症例が多くなったため、AIS 重症度分類 C 以上にまで改善する症例が少なくなったと考察しております。

そこで、追加で実施する臨床試験において当社は、受傷ダメージが大きい症例を新たな基準で選別することにより、試験の成功確度を高めることといたしました。このように当社は、これまでに得られた知見を反映させた臨床試験において有効性の追加データを取得した上で、承認申請を行う予定です。

当該追加臨床試験の概要につきましては、内容が決定次第もしくは状況が確定次第速やかにお知らせいたします。なお、本件による当社の業績へ与える影響については、別紙「2025 年 9 月期業績予想の修正に関するお知らせ」をご覧ください。

以上

脊髄損傷について

脊髄損傷は、交通事故や転倒などにより脊髄が損傷を受けると、損傷部以下の運動・感覚・自律神経系の麻痺を起こす病態です。適切な初期治療と専門的なリハビリテーションにより、一定の回復が望めるものの、多くの場合は四肢の運動・感覚麻痺、膀胱・直腸障害などの重度の後遺障害が残ります。脊髄損傷患者は国内で毎年約 6,000 人が受傷し、慢性期患者を含めると患者数は 10～20 万人と推定されます*。

* 出典：Miyakoshi N et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.、新宮彦助. 脊髄損傷の予防. 日本パラプレジア医学会雑誌 13:48-49, 2000、坂井宏旭. 疫学調査. 総合リハ 36:969-972, 2008

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。