



2025年6月11日

各 位

会 社 名 クリングルファーマ株式会社
住 所 大阪府大阪市北区中之島四丁目3番51号
Nakanoshima Gross 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)
問い合わせ先 取締役経営管理部長 村上浩一
TEL. 06-7653-6728

脊髄損傷急性期を対象とする組換えヒト HGF タンパク質 (KP-100IT) 米国における希少疾病用医薬品指定の取得のお知らせ

当社は、脊髄損傷急性期に対して開発を進めている組換えヒト HGF タンパク質(開発コード:KP-100IT)について、この度、米国食品医薬品局(以下「FDA」)から希少疾病用医薬品指定(Orphan Drug Designation、以下「ODD」)を取得したことをお知らせいたします。

米国の ODD は、米国内の患者数が 20 万人未満である希少疾患を対象とし、医療上特にその必要性が高い品目の開発支援・促進を目的とする制度です。ODD を取得することにより、承認後には米国内で 7 年間の市場独占権が与えられるだけでなく、開発企業は臨床試験費用の税額控除、FDA 申請手数料の免除、FDA の迅速審査など様々な優遇措置を受けることができます。

当社代表取締役社長の安達喜一は次のように述べております。

「脊髄損傷急性期に対する KP-100IT は、日本では 2019 年 9 月に希少疾病用医薬品指定を受けており、現在、国内での医薬品製造販売承認申請に向けて準備を進めています。この度、米国でも ODD を取得できたことは、FDA によって KP-100IT の医療上の必要性が認められた結果であり、今後、開発販売上の様々なメリットを享受しながら医薬品開発を加速させることができると考えます。現在進めている製薬企業等とのパートナーリング交渉においても大きなアドバンテージになることは言うまでもありません。当社は、米国における治験開始の準備を進めることで、グローバル展開をさらに推進してまいります。」

以上

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癒痕に対する薬理効果を明らかにしました。HGF には、声帯癒痕を端緒として、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、希少疾患を対象に 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。声帯癒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。