



2025 年 12 月 15 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

脊髄損傷急性期を対象とする組換えヒト HGF タンパク質「forempermin alpha」の欧州における希少疾病用医薬品指定に向けた申請のお知らせ

当社は、欧州医薬品庁（EMA）に対し、脊髄損傷急性期を対象とする当社開発品「forempermin alpha」について、希少疾病用医薬品指定（Orphan Drug Designation、以下「ODD」）の申請を行いましたので、お知らせいたします。

欧州連合（EU）における ODD は、発症率が人口 1 万人あたり 5 人で、生命を脅かす、または慢性的に衰弱させる疾患に対して、既存治療に比べて有意な治療上の利益を提供する医薬品に付与されます。ODD を受けると、EU における 10 年間の市場独占、EMA の手数料減免及び専門的助言支援などのインセンティブが得られます。

脊髄損傷急性期に対する「forempermin alpha」は、日本では 2019 年 9 月、米国では 2025 年 6 月に ODD を取得済みです。日本における開発は、第Ⅲ相臨床試験まで終了しており、追加治験を実施した上で製造販売承認申請を行う予定です。当該追加治験の開始は 2026 年になる見込みです。一方、米国においては、第Ⅲ相臨床試験の開始に向け、2026 年内の新薬治験開始申請（IND 申請）の準備を進めています。

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。

「EU において ODD を取得することで、日米欧における開発・販売に関するさまざまなメリットを享受しつつ、グローバルでの医薬品開発をさらに加速できると考えています。製薬企業とのパートナーリング交渉や助成金の獲得においても、大きな優位性を発揮できます。当社は、日本に続き米国での治験開始に向けた準備を進めることで、グローバル展開を一層推進し、最終的に欧州も含めた世界市場の獲得を目指してまいります。」

以上

forempermin alpha について

当社が開発する組換えヒト HGF タンパク質の国際一般名称（INN）です。詳細は、2021 年 9 月 9 日付け当社プレスリリースをご参照ください。

https://ssl4.eir-parts.net/doc/4884/ir_material/194305/00.pdf

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 岡野栄之教授及び同医学部整形外科学教室 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第Ⅲ相臨床試験を終了し、さらに追加臨床試験に向けた準備を進めています。また、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。