



2018年12月25日

各 位

会社名 株式会社リプロセル
代表者名 代表取締役社長 横山 周史
(コード番号: 4978)
問合せ先 経営管理部 吉村 美旋律
シニアマネージャー
(TEL. 045-475-3887)

再生医療製品ステムカイマルの希少疾病用再生医療等製品への指定

この度、2018年11月26日にお伝えしました通り、当社が開発中の再生医療製品Stemchymal®（以下、ステムカイマル）が、厚生労働省による大臣承認を経て、希少疾病用再生医療等製品として指定されましたので、お知らせいたします。

ステムカイマルは、脊髄小脳失調症の症状の進行抑制効果が期待されます。

台湾では、Stement Biotherapeutics Inc.（以下、ステミネント社）が既に実施した第I/II相臨床試験において、ステムカイマルの安全性及び有効性を示唆する結果が得られております。さらにステミネント社では、米国における治験開始承認も取得しており、FDAより伸長ポリグルタミン脊髄小脳失調症に対するオーファンドラッグ指定を受けております。今後日本では、当社が第II相臨床試験においてステムカイマルの安全性及び有効性を評価してまいります。

脊髄小脳失調症は、脊髄小脳変性症に分類される疾患です。小脳や脳幹、脊髄の神経細胞が変性してしまう事により、徐々に歩行障害や嚥下障害などの運動失調が現れ、日常生活が不自由となってしまう原因不明の希少疾患です。

希少疾病用再生医療等製品は、医薬品医療機器法第77条の2に基づき、対象患者数が本邦において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。

正式に希少疾病用再生医療等製品に指定されますと、(1)開発に係る経費の負担を軽減するための助成金（開発費用の最大50%）の交付、(2)税制措置、(3)優先審査、(4)開発に関する指導・助言、(5)再審査期間の延長等の支援措置を受けることができます。

なお、希少疾病用再生医療等製品の指定が、直ちに再生医療等製品の製造販売承認に結びつくものではありません。

今後とも当社では、病気と闘っている患者様へ少しでも早く新しい治療法が届けられるよう、本プロジェクトを積極的に推進してまいります。

以 上