

Promethera、新生児期発症尿素サイクル異常症の治療薬 Heparesc の新薬申請がカナダ保健省に受理されたことを発表。

ベルギー、モン＝サン＝ギベール（2017年7月3日） - 体細胞由来治療薬の分野で国際的なイノベーターであるPromethera Biosciences SAは、新生児期発症尿素サイクル異常症(UCD)の治療薬として開発中であるヘパレスク(Heparesc)の新薬申請(NDS)がカナダ保健省に受理されたと本日発表いたしました。UCDは極めて希少な遺伝性疾患であり、毒性の高いアンモニアの体内濃度の上昇を引き起こします。現在のところ肝臓移植以外にこのような代謝障害を治療する方法はなく、この肝臓移植も即時対応可能な治療法ではありません。Heparescは、凍結保存されたヒト肝臓の成熟細胞（肝細胞）を含有する細胞製品です。この細胞は倫理的審査を経て提供された肝臓から得られています。移植された正常機能を有するヒトの成熟肝細胞は、新生児患者の肝臓において欠損した酵素の代役を果たし、尿サイクル機能を補佐します。Heparescにより、代謝機能の状態を安定化させて肝臓移植が実施できる時期までの繋ぎの役目を果たすことが期待されます。

Promethera の CEO であるジョン・チェリングリアンは次のように述べています。「この偉業は、当社とカナダ規制当局との努力の結果、世界中の患者のための革新的な細胞治療への道筋の出発点に到達したことを示すものであり、また重篤な肝臓病に対する当社の取り組みの妥当性を示すものでもあります。」、「当社は戦略目標として、Hepastem や H2Stem のような幹細胞・前駆細胞製品を中心とする開発戦略を継続維持し、ACLF および NASH のような大きな疾患領域に対してもその適応を拡大していく所存ですが、Heparesc については、Cytonet と Promethera のチームが一致団結した結果、この快挙が成し遂げられたことを私は誇りに思います。」

NDS の受理通知により受理事務処理が終了し、カナダ保健省による 300 日間の審査期間が開始します。審査が順調に進めば、Promethera はカナダで新生児期発症 UCD の治療薬として Heparesc を販売することができるようになります。新薬申請には Heparesc に関して行われた 2 つ臨床試験の成績が含まれていますが、これら貴重な試験データは、2016 年 4 月の Cytonet 買収によって得た、Promethera の財産の一つです。

尿素サイクル異常症について

尿素サイクル異常症(UCD)とは、尿素サイクルに必要となる酵素を産生する遺伝子変異によって引き起こされる、重篤な遺伝性疾患です。これらの酵素は身体から窒素を除去し、それを、尿を通じて排出される尿素に変換するという役割を担っています。この酵素が欠乏すると、窒素が毒性のあるアンモニアの形で蓄積され、脳に取り返しのつかない損傷を与え、昏睡状態を引き起こし、死亡することさえあります。この疾患の重篤さと発症する年齢は、欠損酵素の種類と遺伝子変異によります。

Heparesc について

Heparesc は、凍結保存されたヒト肝臓の成熟細胞（ヒト同種肝細胞(HHLivC)）から成ります。提供された肝臓の組織から分離処理後にこの細胞が得られ、患者を治療している場所で容易に用時調製することができ、患者の肝臓門脈から投与する注射剤です。

Promethera Biosciences について

Promethera Biosciences は、肝細胞由来細胞治療薬の分野で国際的なイノベーター企業であり、患者の方々が重篤で慢性的な肝臓病を克服するための手助けとなることをミッションとしています。当社の主たる臨床プログラムは、当社が特許を取得している細胞技術プラットフォーム HepaStem を基盤とするものであり、免疫調節機能や抗繊維化形質の活用化を目標とした製品設計です。私たちは、ベルギーのモン=サン=ギベールとアメリカ合衆国ノースカロライナ州のダーラムに R&D と GMP の施設に展開する国際的な専門家チームです。

Promethera®、HepaStem®、H2stem®、Cytonet®、Heparesc® は、すべて PROMETHERA グループの登録商標です。

お問い合わせ先：

Promethera Biosciences SA

アレクサンドラ・シーテカッテ

Alexandra.schiettekatte@promethera.com

ウェブサイト：www.promethera.com

メディア向け連絡先：

MacDougall Communications

グレーチェン・シュヴァイツァー

またはマリオ・ブルクリ

+49 89 2424 3494

または +49 175 501 0575

mbrkulj@macbiocom.com



<https://www.linkedin.com/company/promethera-biosciences>



<https://twitter.com/Promethera>