

慢性肝不全の急性憎悪（ACLF）患者を対象とした HepaStem™後期第Ⅱ相 DHELIVER Study を開始

重度の肝疾患における最も先進的な細胞治療薬の主たる治験となる可能性
2023 年下期の結果発表を予定

モン＝サン＝ギベール（ベルギー）および東京、2020 年 1 月 8 日 – 細胞由来治療薬および肝疾患分野における世界的イノベーター企業である [Promethera® Biosciences SA](#)（以下「プロメセラ」または「当社」）は本日、慢性肝不全の急性憎悪（ACLF）患者を対象とした、主要パイプライン HepaStem™の有効性と安全性を評価する後期第Ⅱ相臨床試験を開始したことを発表しました。本試験は現在被験者を募集中であり、欧州 22 カ国 110 の施設において ACLF 患者 363 名の登録を目指しています。トップライン結果は 2023 年末の学会等で発表される予定です。

DHELIVER 試験（または HEP102）は、初回投与後 90 日の全生存率に対する HepaStem™治療の有効性を評価するために設計された、多施設共同プラセボ対照無作為化二重盲検比較試験です。副次評価項目として、無移植生存率など追加の有効性評価と、安全性を継続して評価します。当治験ではグレード 1 または 2 の ACLF 患者が登録されます。HepaStem™あるいはプラセボが 1 週間隔で 2 回静脈投与される 2 群で構成され、合計約 363 名の登録を目標としています。

プロメセラ創業者であり Group Chief Medical Officer の Etienne Sokal 氏は次のように述べています。「我々は、HepaStem™を ACLF の治療薬として速いペースで開発しており、できるだけ早くそれを必要としている患者様へお届けすることに注力しています。最終治験となりうる重要な臨床試験として、この治験で得られた結果は新薬申請に十分な臨床データを提供するものと思われれます。ACLF などの重篤な疾患の治療薬を提供することは、その患者集団を救うだけでなく、NASH などの他の肝疾患の治療法開発においても大いに役立つでしょう。」

プロメセラグループ取締役社長兼 CEO の John Tchelingierian 氏は、次のように述べています。「ACLF は重篤で生命を脅かす病気であり、承認されている治療法はありません。患者様にとって唯一の選択肢であり主に行われている治療方法は臓器移植ですが、実際のところ移植を受けられないケースも多く見受けられます。HepaStem™は、このような疾患に対し肝移植以外

で初めて現実的な治療選択肢を与える可能性を有しており、移植が受けられない ACLF 患者様の助けになるでしょう。後期第 II 相臨床試験が開始され次のマイルストーンに向けて取り組みを始められることを誇りに思い、目標を一つずつ達成することで、HepaStem™承認にまた一歩近づけることを楽しみにしています。」

先に終了した HEP101 試験では、慢性肝不全の急性増悪 (ACLF) または ACLF を発症するリスクが高い急性代償不全 (AD) の合計 24 名の患者において、HepaStem™単回または反復投与の安全性と忍容性が証明されました。体重 1kg あたり最大 120 万個の細胞を 1 回または 2 回反復投与した場合、3 か月の追跡期間中に HepaStem™に関連する有害事象は発生せず、血小板数、フィブリノーゲンレベル、および血液凝固因子の HepaStem™投与による臨床的に意義のある変化は見られませんでした。当試験では、この肯定的な安全性プロファイルに加え、肝疾患の重症度を判定する 3 つの指標である MELD スコア、Child-Pugh スコア、およびビリルビンレベルが治療開始後 28 日と 3 か月時点において改善され、有効性の予備的な兆候が示されました。

HepaStem™について

HepaStem™は、移植不適合となった健康なドナーの肝臓から採取され、ラボで増殖された間葉系幹細胞から成ります。現在、前期第 II 相試験 (HEP101) において安全性を評価するフォローアップ期間が継続中であり、その最新臨床試験データは、2019 年 11 月 10 日にボストンで開催された米国肝臓学会議 (AASLD) 年次総会にて、プロメセラの試験責任医師である F. Nevens 教授 (KULeuven: ルーヴェン・カトリック大学、ベルギー) により口頭発表されました。発表されたデータセットは、2019 年 4 月の国際肝臓医学会議 (ILC) で発表された内容を実証するものとなりました。また、細胞治療薬として世界初となる NASH を対象とした臨床試験は 2019 年上期に開始されています。

Promethera® Biosciences (プロメセラグループ) について

プロメセラは、肝臓治療の分野で国際的なイノベーター企業であり、肝臓移植の必要性を低減する救命治療の実現に向けて取り組む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、免疫調節機能や抗線維化形質の活用化を目指し製品設計されています。当社は、細胞由来製品のパイプラインに加え、抗 TNF-R1 抗体 Atrosimab などの抗体技術を開発し、治療の選択肢を補充および多画化しています。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、日本の東京、スイスのバーゼルを拠点に展開する国際的な専門家チームです。



Promethera®、HepaStem™、H2Stem®は全て、プロメセラグループの登録商標です。

お問い合わせ先：

Promethera Biosciences SA：

Alexandra Schiettekatte（ベルギー本社）

Alexandra.schiettekatte@promethera.com

Web: www.promethera.com

Promethera Biosciences SA 日本支店

TEL: 03-5843-6077

info.japan@promethera.com

メディア関係者専用窓口：

MacDougall

Mario Brkulj または Shai Biran, Ph.D.

TEL: +49 89 2420 9345

または +1 781-235-3060

promethera@macbiocom.com