

## Promethera, 만성 급성 간부전 (Acute-on-Chronic Liver Failure) 환자 대상 HepaStem™ 임상 2b DHELIVER 개시

중증 간질환 치료제 중 가장 앞선 세포 기반 치료제의 잠재적 피보탈(pivotal) 시험, 관련 자료 발표는 2023년 후반기로 전망

벨기에 몽 상 귀베르, 일본 도쿄, 1월 8일, 2020-세포 기반 의약품과 간 질환 분야의 세계적인 혁신 선도 업체, [Promethera Biosciences SA](https://www.promethera.com)는 오늘, 만성 급성 간부전 (Acute-on-Chronic Liver Failure) 환자를 대상으로 자사의 간 유래 줄기세포치료제 후보인 HepaStem™(이하 '헤파스텝™')의 효능 및 안전성 평가를 위한 임상 2b 시험 개시를 발표했습니다. 유럽 내 22 개국 110 연구 사이트에서 ACLF 환자 363 환자를 포함하는 것을 목표로 현재 시험 대상자를 모집 중에 있습니다. Topline 결과는 2023년 말에 의학 학회 등에서 발표될 것으로 예상합니다.

DHELIVER 연구 (또는 HEP102)는 초기 투여 후 90일이 지난 후의 전반적인 생존율에 대한 헤파스텝™의 효능을 평가하기 위해 무작위 배정, 이중 눈가림, 위약 비교 및 다기관 연구로 진행됩니다. 더불어 transplantation-free 생존율 및 치료의 안전성에 대한 지속적인 평가 역시 이뤄질 예정입니다. ACLF Grade 1 혹은 2의 환자 등이 임상시험에 참여할 수 있는 자격을 갖추게 되며 대략 363명의 환자를 대상으로 정맥을 통해 헤파스텝™과 위약을 투여 받게 됩니다.

프로메세라 (Promethera Bioscience)의 설립자 겸 최고 의료 책임자인 에티엔 소칼(Etienne Sokal M.D., PhD.)박사는 "우리는 빠른 속도로 ACLF 치료제, 헤파스텝™을 개발하고 있으며, 가능한 한 빨리 치료제가 필요한 환자에게 제공해 줄 수 있도록 노력하고 있다. 잠재적 피보탈(pivotal) 시험의 결과는 신약 허가 신청이 가능한 충분한 임상 데이터를 제공해 줄 것"이라며 "ACLF와 같은 중증 질환에 대한 치료법을 제공하는 것은 해당 환자만이 아닌 NASH와 같은 다른 간 질환에 대한 치료법을 개발하고자 하는 우리의 노력에 큰 도움이 될 것이다"라고 덧붙였습니다.

더불어 프로메세라의 사장 겸 CEO, 존 쉐링저리언 (John Tchelingierian, PhD) 박사는 "ACLF는 현재 가능한 치료법이 없는 생명을 위협하는 중증의 질병이다. 환자를 위한 유일한 선택사항은 대수술이 동반되는 간 이식이나, 이마저도 쉽지 않다. 헤파스텝™은 간 이식에 대한 최초의 실질적인 대안이 될 수 있고, 치료가 필요한 ACLF 환자를 도울 수 있는 잠재력을 가지고 있다"라며 "우리는 2 단계 임상을 시작으로 헤파스텝™의 임상 발달을 위한 다음 이정표를 향해 매진할 수 있게 되어 자랑스럽고 흥분되며, 우리가 설정한 목표를 달성하여 헤파스텝™이 치료제로 인정받을 수 있는 단계에 한 걸음 더 다가가기 기대하고 있다"라고 덧붙였습니다.

앞서 진행된 HEP101 시험에서 헤파스텝™은, 총 24명의 ACLF 또는 ACLF의 개발 위험이 높은 AD(Acute Decompression)환자들에게 단일 또는 반복 주입 시 안전하고 내약성이 있다는 것이 입증되었습니다. 체중(kg) 당 최대 120만 개의 셀을 반복 투여한 결과, 3개월의 추적 기간 동안



헤파스텝™과 관련된 이상 현상은 발견되지 않았으며, 헤파스텝™ 주입 후 혈소판 개수, 파이브리노겐 수치 및 응고 인자에 임상적으로 유의미한 변화는 나타나지 않았습니다. 이 연구는 긍정적인 안전성 프로파일과 더불어 치료 개시 후 28 일, 3 개월 동안에 간 질환 심각도의 세 가지 지표인 말기 간 질환 점수(MELD), 소아-Pugh 점수 및 빌리루빈 수치에서도 개선된 초기 유효성을 보였습니다.

#### **About HepaStem™**

헤파스텝™(HepaStem™)은 윤리적으로 기증 받은 건강한 장기에서 얻고 실험실에서 확대하여 얻은 간 유래 중간엽 줄기세포로 구성되어 있습니다. 만성 간 질환에서의 급성 장기 부전(Acute-on-Chronic Liver Failure, ACLF) 또는 ACLF 발병 위험이 있는 급성 대상 부전(acute decompensation, AD) 환자를 대상으로 자사의 선도적 제품 후보인 헤파스텝™에 대해 진행 중인 2a 연구의 초기 임상 데이터를 International Liver Congress™(EASL) 2019 총회 에서 late-breaking presentation 의 일환으로 발표했습니다. NASH 임상 시험은 2019 년 초기에 시작되었으며 세포 기반의 파이프라인 외에도 항-TNF-R1 항체 아트로시맙(Atrosimab)과 같은 항체 기술을 개발해 당사의 치료 옵션을 보완하고 다각화하고 있습니다.

#### **About Promethera® Biosciences SA (Promethera® Group)**

Promethera® Biosciences 는 생명을 구하는 치료제를 보급해 간이식의 필요성을 낮춘다는 사명을 가진 간 치료 분야의 글로벌 혁신 업체입니다.

특허기술인 세포기술플랫폼 HepaStem™에 기반을 둔 선도적인 임상 프로그램은 면역조절 및 항성유화 특성을 유익하게 이용하도록 고안되었습니다. 당사는 세포 기반의 파이프라인 외에도 항-TNF-R1 항체 아트로시맙(Atrosimab)과 같은 항체 기술을 개발해 당사의 치료 옵션을 보완하고 다각화하고 있습니다. 당사는 벨기에 몽 상 귀베르와 미국 노스캐롤라이나주 더럼, 일본 도쿄와 스위스 바젤에 시설을 두고 이를 기반으로 활동하는 국제적 전문가 팀입니다.

Promethera®, HepaStem™, H2stem®은 베네룩스국가, 미국 및 기타 국가에 등록된 PROMETHERA 그룹의 고유 상표입니다.

#### **Contact Information:**

##### **Promethera Biosciences SA**

Alexandra Schiettekatte

[Alexandra.schiettekatte@promethera.com](mailto:Alexandra.schiettekatte@promethera.com)

Web: [www.promethera.com](http://www.promethera.com)

##### **For media:**

MacDougall

Mario Brkulj or Shai Biran, Ph.D.

+49 89 2420 9345

or +1 781-235-3060

[promethera@macbiocom.com](mailto:promethera@macbiocom.com)