

## 筋萎縮性側索硬化症（ALS）を対象とした Muse 細胞製品「CL2020」の探索的臨床試験開始について

株式会社生命科学インスティテュート

株式会社生命科学インスティテュート（本社 東京都千代田区、社長 木曾誠一、以下「LSII」）は、Muse 細胞を用いた再生医療等製品の研究開発を進めていますが、このたび、筋萎縮性側索硬化症（ALS；Amyotrophic Lateral Sclerosis、以下、「ALS」）を対象疾患とした Muse 細胞製品「CL2020」の探索的臨床試験を国内で開始することとなりましたのでお知らせします。

ALS は、主に中年期以降に発症する、運動ニューロンが選択的に変性脱落していく原因不明の難病とされています。現段階で有効な治療法はなく、新しい治療法の開発が望まれている極めてアンメットメディカルニーズの高い疾患です。

岡山大学大学院医歯薬学総合研究科脳神経内科学講座で実施した ALS モデルマウスにおける実験では、ヒト Muse 細胞の静注投与により、運動神経細胞脱落や運動機能低下を抑制する治療効果があることが確認されております（Yamashita et al., Sci. Rep., 2020 10(1):17102）。また、CL2020 は神経細胞の活性化や修復が期待できることから、ALS に対する新たな治療選択肢になり得ると考えています。

LSII の代表取締役社長である木曾誠一は、「これまで実施してきた他の疾患における臨床試験の結果と、岡山大学の阿部康二教授らとの共同研究で実施された ALS モデルマウスの実験結果により、早期に ALS の探索的臨床試験を開始することができました。アンメットメディカルニーズに応えることは LSII の使命であり、患者さんに役立つ新しい治療法の開発を目指します。」と述べています。

CL2020 を用いた臨床試験は、急性心筋梗塞、脳梗塞、表皮水疱症、脊髄損傷、新生児低酸素性虚血性脳症（医師主導治験）に続けて 6 つめの適応症での実施となります。

今後も、LSII は Muse 細胞製剤をはじめとして次世代に向けたヘルスケア事業を展開することで、世界中の人々の健康・医療に貢献し、人々が健康で安心な社会、KAITEKI の実現を目指します。

以上

### 【Muse 細胞】

2010 年に東北大学の出澤真理教授のグループによって発見された Muse 細胞（Multilineage-differentiating Stress Enduring cells）は、免疫調整機能を持つためドナー由来の Muse 細胞を HLA 適合や免疫抑制剤の投与なしにそのまま投与が可能です。また、長期に生体内で分化を維持して生存が可能で、腫瘍化のリスクが非常に低い新しいタイプの多能性幹細胞です。Muse 細胞は体内で様々な種類の細胞に分化することができ、末梢血や骨髄、および各臓器の結合組織中に

分布している内因性の修復幹細胞で、遺伝子の導入や事前に分化誘導したり、外科手術で細胞を移植したりする必要もなく、そのまま静脈内に投与するだけで損傷部位に集積し、そこに生着して組織を修復するという特徴を有しています。

【筋萎縮性側索硬化症（ALS）】

手足・のど・舌の筋肉や呼吸に必要な筋肉が徐々に痩せ細り、力がなくなっていく原因不明の疾患で、国の定める指定難病の一つです。ALSでは、筋肉そのものには問題は無く、脳からの命令を筋肉に伝える皮質脊髄路を構成する上位運動ニューロンと骨格筋を支配する下位運動ニューロンの両方が変性脱落し、脳からの指示命令が筋肉に伝わらなくなり、次第に力が弱くなり筋肉が痩せていきます（運動機能障害）。ALSは進行性の病気で、一度この病気にかかると症状が軽くなることはなく、その影響は徐々に全身に及びます。日本国内の患者数は約 9,800 人とわれ、現段階で有効な治療法はないため、新しい治療法の開発が望まれています。

[本件に関するお問い合わせ先]

株式会社生命科学インスティテュート 経営企画部 広報担当： TEL 050-3188-2753  
株式会社三菱ケミカルホールディングス 広報・IR室： TEL 03-6748-7140

[治験に関するお問い合わせ先]

生命科学インスティテュート 治験に関するお問い合わせ窓口  
TEL： 0120-051-866  
メールアドレス： [lsii.chicken-inq@eppharmaline.co.jp](mailto:lsii.chicken-inq@eppharmaline.co.jp)