

## 表皮水疱症を対象とした Muse 細胞製品「CL2020」の 臨床試験に関する論文掲載について

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「当社」）は、北海道大学病院、東邦大学医療センター大森病院ほかにて 2018 年 12 月から実施しておりました表皮水疱症患者を対象とした臨床試験の結果を得たことを 2020 年 7 月に発表しております。今般、2021 年 3 月 14 日（現地時間）に本臨床試験に関する論文が、欧州皮膚科性病科学会の公式ジャーナルである *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology* の電子版に掲載されましたので、お知らせします。

本試験では、難治性皮膚潰瘍を有する表皮水疱症患者（5 例）を対象に、CL2020 を静脈内に単回投与した際の安全性および有効性について検討しました。その結果、主要評価項目である安全性について、CL2020 投与後 52 週までにおいて特に問題は認められませんでした。また、副次的評価項目である有効性は、CL2020 投与後 4 週時点の皮膚潰瘍面積について有意な縮小が認められました。

論文の詳細については *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology* 電子版をご覧ください。 (<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/jdv.17201>)

LSII は、今回の試験で、CL2020 の投与により当該患者に対する良好な忍容性と皮膚潰瘍に対する有効性が示唆されたことから、重度の表皮水疱症患者にとって有望な治療方法となる可能性があるものと考えています。今回の臨床試験の成績をもとに、規制当局とも相談しながら引き続き開発を進めていきます。

今後も、LSII は Muse 細胞製品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、免疫調整能を有することからドナー由来の 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。

**【表皮水疱症】**

表皮水疱症は、表皮～基底膜～真皮の接着を担っている接着構造分子が生まれつき少ないか消失しているため、日常生活で皮膚に加わる力に耐えることができずに皮膚や粘膜が擦れることにより水ぶくれ（水疱）や潰瘍が生じてしまう病気です。国の指定難病に登録されており、日本国内には、約 500～1000 人の患者さんがいると予想されていますが、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