

2025 年 5 月 14 日

各 位

会 社 名 株式会社リプロセル

代 表 者 名 代表取締役社長

横山 周史

(コード番号：4978、東証グロース市場)

問 合 せ 先 経営管理部 GM

山根 幸司

(TEL. 045-475-3887)

**提携先である Stement Biotherapeutics Inc. と UCLA による脊髄小脳失調症治療薬「Stemchymal®」の
米国での臨床試験結果発表に関するお知らせ**

当社が、日本における独占的商業化ライセンス契約を締結している脊髄小脳失調症（SCA）を対象とした幹細胞治療薬「Stemchymal®」（以下、ステムカイマル）について、Stement Biotherapeutics Inc.（本社：台湾、以下ステミネント社）が、カリフォルニア大学ロサンゼルス校（UCLA）と共同で、脊髄小脳失調症3型（SCA3）の米国人患者に対する本剤を用いた治療に関する結果を発表しましたので、お知らせいたします。

本発表は、2025年5月7日から10日にかけて米国で開催された国際細胞・遺伝子治療学会（International Society for Cell & Gene Therapy: ISCT）において、UCLA臨床神経学教授であるSusan Perlman博士により行われました。

発表された臨床試験結果の概要

1. 薬剤： 幹細胞治療薬ステムカイマル
2. 対象患者： 脊髄小脳失調症3型（SCA3）アジア人女性
3. 投与方法： 静脈内に 3 回投与
4. 評価項目と結果： SARA スコア（※1）を用いた有効性評価と安全性の評価
 - 有効性： 患者はステムカイマル投与開始前よりトロリルゾール（※2）を服用していましたが、ステムカイマル投与開始時点の運動機能を示すSARAスコアは7.5でした。ステムカイマルの投与を3回実施した結果、同スコアは3.5まで改善が認められました。その後、約1年半にわたり安定した状態が維持され、本治療による運動機能の改善と長期的な安定性が示唆されました。
 - 安全性： 急性的または長期的な臨床的に意義のある安全性の問題は観察されませんでした。
 - 総括： ステムカイマルの投与により、SCA3の症状改善と進行抑制に寄与する可能性が示され、安全性含めたプロファイルは、これまで日本及び台湾で実施された第II相試験データと類似しております。

詳細な発表内容は、下記ウェブサイトをご覧ください。

https://stement.com/news/lists?news_category_id=2&news_id=14&page=1

当社では、病気と闘っている患者様へ少しでも早く新しい治療法が届けられるよう、承認申請の準備を進めております。

用語解説

※1 SARAスコア (Scale for the Assessment and Rating of Ataxia) : 運動失調の重症度を評価するための国際的な標準指標。点数が高いほど重症であることを示す。

※2 トロリルゾール : 脊髄小脳失調症に対する治療選択肢の一つとして研究が進められている医薬品候補化合物。

以上