

2024年7月8日



各位

会社名 株式会社 ステムリム  
代表者名 代表取締役社長 CEO 岡島 正恒  
(コード番号:4599 東証グロース)  
問合せ先 経営管理部 植松 周平  
(電話番号:072-648-7152)

## PJ5:幹細胞遺伝子治療における栄養障害型表皮水疱症を対象とした 特許登録(日本)のお知らせ

当社と国立大学法人大阪大学大学院医学系研究科・幹細胞遺伝子治療学共同研究講座(以下「大阪大学」)との間で共同研究を行っているPJ5:幹細胞遺伝子治療について、栄養障害型表皮水疱症を対象とした治療薬としての用途特許が日本において登録されることとなりましたので、お知らせいたします。

発明の名称 : 栄養障害型表皮水疱症治療薬  
出願地域 : 日本  
出願番号 : 特願2020-566497号  
登録(公告)番号 : 未定  
出願人 : 国立大学法人大阪大学

本特許は、当社と大阪大学が現在共同開発を進めてきた**栄養障害型表皮水疱症の根治治療を目的とした遺伝子治療技術を保護するものであり、本特許の成立により日本における当該遺伝子治療の事業化の独占性を担保**することが可能になります。

表皮水疱症は、皮膚基底膜領域の接着構造蛋白群の遺伝子異常により、出生直後から生涯にわたり、全身熱傷様の水疱、びらん、潰瘍を生じ、重症病型では致死となる遺伝性水疱性皮膚難病です。表皮水疱症の患者はVII型コラーゲンの遺伝子に異常があるため、機械的刺激により容易に表皮と真皮の間が裂けます。その結果出生時から全身の皮膚に水ぶくれができ、生涯にわたり症状が続きます。遺伝子治療をのぞいて現時点で根治的な治療法はありません。

本特許は、VII型コラーゲンを欠損している重症劣性栄養障害型表皮水疱症の患者さんの水疱から間葉系幹細胞を採取・培養する開発技術を基に、患者水疱内容液由来間葉系幹細胞にVII型コラーゲン遺伝子を導入し再び患者さんの水疱へ戻す、という治療技術を知財化したものであり、現在、有効な治療法のない栄養障害型表皮水疱症に対する根治的治療効果を得ることを可能にした技術になります。本用途特許は当社が創業時から目指してきた表皮水疱症の根治的治療法の確立(幹細胞遺伝子治療の実用化)において非常に重要なステップであり、今後、栄養障害型表皮水疱症の根治治療に向けた研究開発が加速することが期待されます。

なお、本特許は現在、米国、欧州をはじめとした世界各国において出願しており、これらが成立したのちには世界的に当該遺伝子治療の事業化の独占性が担保されることとなります。

なお、本件による2024年7月期通期業績への影響はありませんが、開示すべき事項が生じた場合には速やかに開示いたします。

以 上