

2025 年 10 月 16 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)

**栄養障害型表皮水疱症の根治治療を目的とした
幹細胞遺伝子治療技術(開発コード:SR-GT1)の特許登録(日本)のお知らせ**

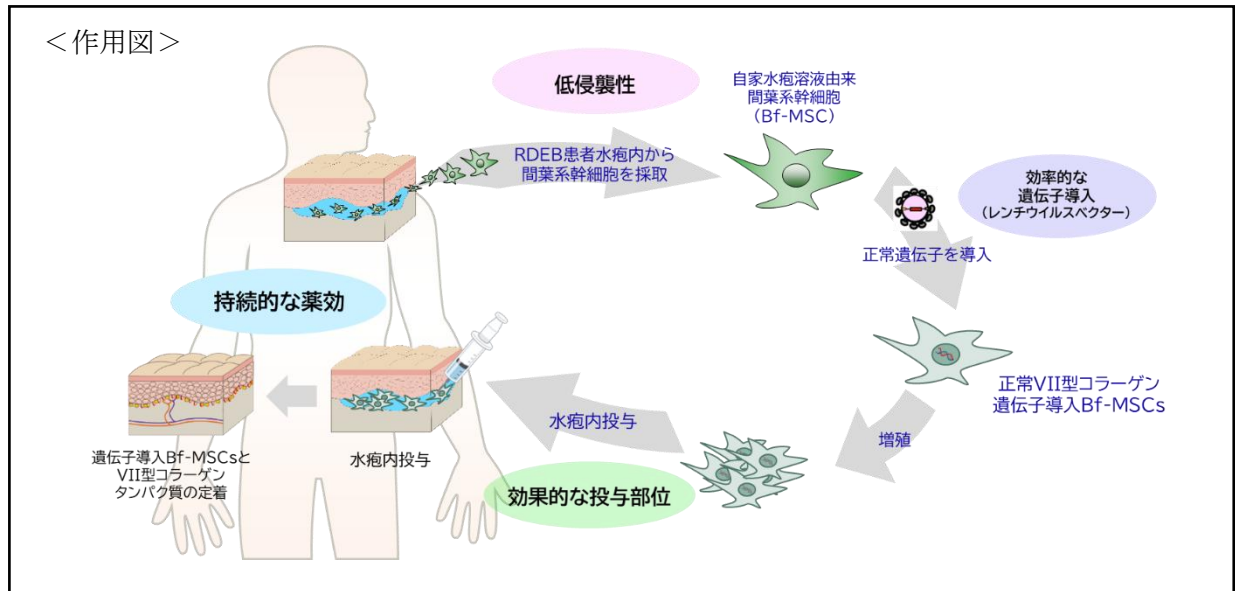
当社が開発している表皮水疱症の根治治療を目的とした幹細胞遺伝子治療技術(開発コード:SR-GT1)に係る特許(治療用細胞の特許)について、下記の通り特許が登録されることとなりましたのでお知らせいたします。

発明の名称 : 栄養障害型表皮水疱症の治療薬
出願地域 : 日本
出願番号 : 特願2022-538037
登録番号 : 未定
出願人 : 株式会社ステムリム、国立大学法人大阪大学

栄養障害型表皮水疱症は、日常生活の軽微な外力で皮膚に熱傷様の水疱やびらん、潰瘍を形成する遺伝性疾患です。皮膚は表皮と真皮の二層構造でできており、両者は「VII型コラーゲン」というタンパク質によって接着されています。このVII型コラーゲンは、表皮の角化細胞や真皮の線維芽細胞から分泌され、表皮と真皮をしっかりとつなぎ止める「糊」のような役割を果たしています。しかし、表皮水疱症ではこのVII型コラーゲンに遺伝的な異常があるため、接着力が弱くなり、表皮が簡単に真皮から剥がれてしまいます。その結果、表皮と真皮の間に組織液がたまり水疱が生じ、水疱が破れると潰瘍となり、潰瘍が閉鎖しても真皮は瘢痕化し、重症例では手指の癒着や関節の拘縮が生じます。また口腔内や食道の粘膜剥離により経口摂取が困難になることがあります。現在、栄養障害型表皮水疱症の根治的治療法はありません。

これまで当社と大阪大学が進めてきた「再生誘導医薬®」開発研究を基盤として、体内再生誘導治療を遺伝性難病の根治的治療へと発展させるために、皮膚を再生する幹細胞を標的とした遺伝子治療技術の開発を目指してきました。本技術では、栄養障害型表皮水疱症の患者さん自身の水疱内から採取した間葉系幹細胞を培養・増殖し、正常なVII型コラーゲン遺伝子を効率的に導入します。そして、その正常VII型コラーゲン遺伝子を導入した自己間葉系細胞をさらに培養し、再び患者さんの水疱内に投与することで、VII型コラーゲンを安定的に供給する間葉系細胞が皮膚に長期生着し、表皮水疱症の**根治的な治療を実現**します。

<作用図>



当社が開発を進める幹細胞遺伝子治療「SR-GT1」は、現在、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の支援¹⁾のもと、臨床応用を見据えた治験薬製造を進めております。本技術は、栄養障害型表皮水疱症に対する根治的治療を目指す革新的なアプローチであり、現在、医師主導による治験への迅速な移行に向けた準備が着実に進行中です。

なお、本件による2026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

- 1) 2024年12月6日付「[AMED公募課題『令和6年度 再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業』採択のお知らせ](#)」ご参照

※「再生誘導」、「再生誘導医薬」、「再生誘導医学」、「再生誘導医療」はステムリムの登録商標です。