

Heartseed 和诺和诺德联合宣布: HS-001 的临床研究用于首位患者——HS-001 是一种设计在晚期心衰患者中恢复心脏功能的细胞治疗

HS-001 由诱导多能干细胞 (iPSC) 衍生的纯化心肌细胞群组成。

1/2 期临床研究 (LAPiS 研究) 将招募 10 名缺血性心脏病导致的晚期心衰患者。

日本东京和丹麦 Bagsvaerd, 2023 年 2 月 10 日 – Heartseed Inc. (Heartseed) 和诺和诺德公司今天宣布 Heartseed 在 HS-001 的 1/2 期临床研究 (LAPiS 研究) 中成功进行了首次患者给药; HS-001 为一种针对心力衰竭的在研细胞治疗。这位患者患有晚期心衰, 一个独立的安全性评估委员会已经针对其 4 周数据进行了评估并批准此项研究可继续进行。

心力衰竭是一种慢性渐进性疾病, 此病患者的**心肌无法泵送足量血液, 以满足人体对血液和氧气的需求。这种疾病可导致患者频繁住院, 而确诊心力衰竭的患者中有一半以上会在 5 年内死亡¹。全球心力衰竭患者人数超过 6500 万人, 主要由缺血性心脏病、心肌病和高血压引起²。此病无法治愈。目前的治疗可延缓病情发展, 但无法阻断其进展³, 因此此病的患病率和死亡率依然较高⁴。

HS-001 是一种在研的细胞治疗, 由多能干细胞 (iPSC) 衍生的纯化心肌细胞群 (心肌细胞球体) 组成, 其设计目标是在晚期心力衰竭患者体内恢复心肌及其功能。在多项临床前研究中, iPSC 衍生的心肌细胞展示出可改善心脏功能⁵。

LAPiS 研究是一项在由缺血性心脏病导致的晚期心衰患者中进行的为期 52 周的 1/2 期开放标签、剂量递增研究, 在日本的多个研究中心开展。HS-001 将通过开胸手术移植入心脏病变组织内, 按计划同时进行冠状动脉旁路移植手术。此项研究将招募 10 名患者, 分为 5000 万心肌细

胞和 1.5 亿心肌细胞两个队列。研究主要终点为移植后 26 周时的安全性，次要疗效终点包括左心室射血分数和心肌壁运动。

“作为一名心脏病科医生，我已经为实现心脏再生医疗努力了多年，目的是对心脏功能已经恶化到无法维持日常生活的心力衰竭患者进行治疗。为达成这一目标，我们建立了 Heartseed 并以患者安全和获益为首要任务继续我们的研究。” Heartseed 的 CEO 福田惠一(Keiichi Fukuda) 表示。“我们很高兴地宣布首次 HS-001 移植已经成功实施，这是我期待已久的全新治疗的重要第一步。我要向所有为这一项目做出了贡献的人们表示最由衷的感谢。”

“细胞治疗有望为严重慢性病患者带来真正的疾病修饰治疗。我们对于合作伙伴 Heartseed 开始针对这一治疗心力衰竭的创新手段进行临床验证感到非常高兴。” 诺和诺德细胞治疗研发企业副总裁 Jacob Sten Petersen 表示。“我们的目标是在日本 Heartseed 创始工作的基础上，最终希望给全球的心力衰竭患者带来一种变革性治疗。”

关于 HS-001

HS-001 由同种异体基因 iPSC 衍生的高度纯化的心室心肌细胞球体组成。在临床前研究中，与单细胞悬浮液相比，通过构建微组织样球体，细胞移植保留率和变异性得到改善。球体移植是通过特殊给药针头和导向适配器进行心脏心肌层给药。

预期的作用机制是将移植的心肌细胞耦合到患者的心肌层，通过心肌再生和在移植部位周围血管生成因子分泌生成新血管（新血管形成）改善心输出量。

关于此项合作

2021 年 6 月 1 日，Heartseed 和诺和诺德宣布双方的合作协议，其中规定诺和诺德获得了 HS-001 在日本以外的全球独家研发、制造和商业利用权。Heartseed 将保留在日本独自研发 HS-

001 的权利，诺和诺德则有权与 Heartseed 合作在日本进行这一产品的商业利用，双方按照 50/50 的比例分担支出并分享收益。Heartseed 有权获得最多达 5.98 亿美元的付款，其中包括 5500 万美元的先期付款和近期里程碑付款。Heartseed 还将有权针对日本以外的年净销售额获得高单位数到低两位数的分层特许权使用费。

关于 Heartseed

Heartseed Inc. 成立于 2015 年，目的是对由福田惠一教授和他在日本东京庆应义塾大学 (Keio University) 心脏病学系的团队所开发的心肌再生疗法进行研发和商业利用。Heartseed 拥有整个心肌细胞产品生产流程的专利技术，包括纯化、细胞递送和 iPSC 生产等。Heartseed 曾在 “2021 日本新创大奖” 表彰仪式上获颁 “科学技术政策部长奖”，在 “学术初创企业 2021” 典礼上获颁 “日本文部科学省大奖”，并在 2022 亚太细胞与基因治疗卓越大奖典礼上获颁 “最具希望在研管线奖 (iPSC)”。更多信息，请访问 [Heartseed 官网](#) 及其 [领英页面](#) (英文)。

References

1 Jones NR et al. European Journal of Heart Failure 2019 Nov; 21(11): 1306–1325 Survival of patients with chronic heart failure in the community: a systematic review and meta-analysis - PMC (nih.gov)

2 Bragazzi NL et al. Preventive Cardiology 2021;28(15):1682-1690 Burden of heart failure and underlying causes in 195 countries and territories from 1990 to 2017 – PubMed (nih.gov)

3 McDonagh TA et al. European Heart Journal 2021 Sep 21;42(36):3599-3726 2021 ESC Guidelines for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure - PubMed (nih.gov)

4 Savarese G, Lund LH. Cardiac Failure Review. 2017;03(01):7-11 Global Public Health Burden of Heart Failure - PubMed (nih.gov)

5 Kawaguchi S et al. JACC Basic Translational Science 2021 Feb 19;6(3):239-254 Intramyocardial Transplantation of Human iPS Cell-Derived Cardiac Spheroids Improves Cardiac Function in Heart Failure Animals - PubMed (nih.gov)