



2025 年 7 月 8 日

NANO MRNA 株式会社
代表取締役社長 秋永 士朗
(4571 東証グロース)
問合せ先 IR担当 土屋 千映子
電話番号 03-6432-4793

変形性膝関節症の疾患修飾薬「RUNX1 mRNA」 第 1 相臨床試験開始に向けた試験計画の申請に関するお知らせ

当社子会社 PrimRNA 株式会社のオーストラリア（豪州）法人が、mRNA を用いた変形性膝関節症（膝 OA）治療薬「RUNX1 mRNA」の第 1 相臨床試験の開始に向けて、試験計画を HREC（Human Research Ethics Committees：人を対象とする研究倫理審査委員会）へ申請しましたので、お知らせいたします。

豪州規制当局である TGA（Therapeutic Goods Administration）は、ヒトを対象とする治験などの研究について科学的・倫理的審査を HREC に委任しているため、第 1 相臨床試験は HREC 承認を取得したのち TGA に治験登録を行うだけでスタートできます。今後約 6 週間程度で HREC の承認を取得し、患者登録をスムーズに進める予定です。

第 1 相臨床試験概要

対象患者：関節置換術を予定する膝 OA 患者※
評価項目：安全性および忍容性
探索的評価：軟骨再生関連遺伝子の発現などのバイオマーカー解析
試験デザイン：単回投与、用量漸増試験（関節腔内投与）

※本剤の対象患者は、軽度から中等度の変形性膝関節症患者を想定していますが、本試験では、関節置換術を予定する重症膝 OA 患者を対象に本製剤を単回、膝関節腔内に投与し、安全性・忍容性に加え、RUNX1 タンパク質および軟骨再生に関連する遺伝子の発現を観察します。

尚、本件による 2026 年 3 月期業績への影響はございません。当社は、引き続き PrimRNA の RUNX1 mRNA の臨床開発を支援し、mRNA 治療薬の創製を目指してまいります。

RUNX1 mRNA

軟骨の再生を促進する転写因子 RUNX1 をコードする mRNA の DDS 製剤で、膝関節内に直接投与することで、損傷した軟骨組織の修復を促進する新しいタイプの変形性膝関節症治療薬です。

変形性膝関節症

加齢や肥満などにより膝の軟骨がすり減り、膝に強い痛みを生じ、歩行が困難になる疾患です。治療薬は、痛みの軽減を目的とする対処療法薬しかなく、軟骨修復作用を有する疾患修飾薬の創出が期待されています。世界で患者数は増加傾向にあり、世界市場規模は 2024 年で約 95 億ドル（1.5 兆円）と推定されており、2034 年には 243 億ドル（3.5 兆円）まで拡大すると予想されています（出典：Towards HEALTHCARE）。RUNX1 mRNA 製剤のような疾患修飾薬の登場は、さらに市場を拡大するものと考えられています。

以上