

各 位

会社名 MediciNova, Inc
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 岩城 裕一
(コード番号: 4875 東証スタンダード)
問合せ先 東京事務所代表 副社長 松田 和子
兼最高医学責任者 (CMO)
電話: 03-3519-5010
E-Mail: infojapan@medicinova.com

米国国立衛生研究所 (NIH) からの資金提供による
MN-166 (イブジラスト) の筋萎縮性側索硬化症 (ALS) を対象とする
Expand Accsee Protocol (拡大アクセスプロトコール) 臨床治験に関するお知らせ
～NIH が総額 2,200 万ドルの治験費用を提供～

2024年9月30日 米国 ラ・ホイヤ発 – メディシノバ (MediciNova, Inc.) (米国カリフォルニア州 ラ・ホイヤ、代表取締役社長兼 CEO: 岩城裕一) は、MN-166 (イブジラスト) ^{*1} の有効性を評価する筋萎縮性側索硬化症 (ALS) ^{*2} を対象とする中規模の Expand Access Protocol (EAP 拡大アクセスプロトコール) 臨床治験に対し、米国国立衛生研究所 (NIH) - 神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) が 2,200 万米ドル (約 31 億 6,000 万円) を提供することを発表したことについて、お知らせいたします。(参照 1) (参照 2)

本治験は、学術グループと当社の共同で実施され、当社は治験薬 MN-166 (イブジラスト) の提供、薬事サポート、安全性モニタリングなどのサポートを担当します。

この NIH による助成金は、バイデン大統領が署名した「ALS の重要な治療法へのアクセスを加速する法律 (ACT for ALS)」によって支援されています。

Expanded Access Protocol (EAP) は、Compassionate Use (訳注: 人道的見地から実施される未承認薬アクセス制度) と呼ばれ、米国食品医薬品局 (FDA) によって規制されている制度です。深刻で生命に関わる疾患を有する個人が、例外的にまだ承認されていない治験薬にアクセスすることを可能にします。

この EAP での臨床治験は、現在進行中のフェーズ 2/3 臨床治験 (COMBAT-ALS スタディ) に参加する資格を満たさない ALS 患者が MN-166 (イブジラスト) による治療を受けることを可能にします。本治験では、MN-166 (イブジラスト) の治療を受けた 200 人の ALS 患者の神経損傷のバイオマーカーであるニューロフィラメント・ライトと臨床データなどを評価します。

MN-166 (イブジラスト) は ALS の適応で FDA からオーファンドラッグ及びファストトラック指定、欧州 EMA からオーファンドラッグ指定を受けています。

当社代表取締役社長兼 CEO の岩城裕一は次のようにコメントしています。

「NIH/NINDS の助成金とサポートは、この壊滅的な病気の解決策を見つける努力において大きな前進です。私たちは、この EAP 治験をサポートできることを光栄に思います。この治験により、現在実施しているフェーズ 2/3 臨床治験 (COMBAT-ALS) には参加が適わない、病状が進行しているより多くの ALS 患者さんに MN-166 (イブジラスト) を提供することができます。

Act for ALS を通じて支援して下さった NIH と NINDS に心から感謝いたします。また、この EAP を可能にし ALS の潜在的治療薬としての MN-166 (イブジラスト) の理解を深めるために尽力して下さる参加者とその家族、医療従事者、試験施設のスタッフに深く感謝いたします。」

(参照 1) メイヨークリニック公式 web サイトより

<https://newsnetwork.mayoclinic.org/discussion/mayo-clinic-awarded-federal-grant-to-study-experimental-als-drug/>

(参照 2) 米国国立衛生研究所 (NIH) 公式 web サイトより

<https://www.ninds.nih.gov/news-events/directors-messages/all-directors-messages/updates-act-als>

なお、本件が当社の 2024 年 12 月期の業績に与える影響は現在のところ未定ですが、今後、開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

以上

* 1 MN-166 (イブジラスト) について

MN-166 はファースト・イン・クラスの経口摂取可能な小分子化合物で、マクロファージ遊走阻止因子 (MIF) 阻害剤、ホスホジエステラーゼ-4 及び-10 の阻害剤で、炎症促進作用のあるサイトカイン、IL-1β、TNF-α、IL-6 など阻害する働きを有しており、また、反炎症性のサイトカイン IL-10、神経栄養因子及びグリア細胞由来神経栄養因子を活性化する働きも認められています。グリア細胞の活性化を減衰し、ある種の神経症状を緩和することがわかっています。前臨床研究および臨床研究において抗神経炎症作用及び神経保護作用を有することが確認されており、これらの作用が MN-166 の神経変性疾患 (進行型多発性硬化症、ALS など)、各種依存症、慢性神経因性疼痛などに対する治療効果の根拠と考えられています。当社は、進行型多発性硬化症及び ALS、薬物依存症をはじめとする多様な神経系疾患を適応とする新薬として開発しており、進行型多発性硬化症、ALS、薬物依存症などを含むさまざまな疾患治療をカバーする特許のポートフォリオを有しております。

* 2 筋萎縮性側索硬化症 (ALS) について

ALS (筋萎縮性側索硬化症)、またの名をルー・ゲーリック病 (著名な大リーグ野球選手が罹患したこと) と呼ばれるこの疾病は、脳及び脊椎の神経細胞にダメージを及ぼす進行性の神経変性疾患です。このダメージにより特定の筋肉への指令が届かなくなり、筋肉が萎縮し弱まっていきます。その結果、随意運動が不自由となり、病状末期には全身の運動麻痺に至り人工呼吸器などの補助が必要になります。診断されてからの生存期間は通常 2 年から 5 年と言われています。米国 ALS 協会によると、現在米国にはおおよそ 16,000 人の ALS 患者がおり、毎年約 5,000 人が新たに診断されています。

メディシノバについて

メディシノバ (MediciNova, Inc.) は、臨床開発ステージにあるバイオ医薬品開発企業であり、炎症性疾患、線維化疾患、神経変性疾患などの様々な疾患領域において、新規低分子化合物の広範な後期パイプラインを開発しています。主要な開発品である 2 つの化合物、MN-166 (イブジラスト) と MN-001 (タイペルカスト) は、複数の作用機序と高い安全性プロファイルを有しており、当社は、これら 2 つの化合物について現在 11 の臨床開発プログラムを有しております。

当社の主力開発品である MN-166 (イブジラスト) は、現在、筋萎縮性側索硬化症 (ALS)、変性脊椎頸椎症 (DCM)、新型コロナウイルス感染後遺症 (Long-COVID) で臨床第 III 相 (フェーズ 3) 段階、進行性の多発性硬化症 (MS) において臨床第 III 相 (フェーズ 3) 準備段階にあります。加えて、MN-166 (イブジラスト) は、膠芽腫 (グリオブラストーマ)、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) 及び薬物・アルコール依存症の治療薬として臨床第 II 相 (フェーズ 2) 段階にあります。

MN-001 (タイペルカスト) は、非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD) について、臨床第 II 相 (フェーズ 2) 段階にあります。

当社は、公的機関からの資金助成を受け、多くの医師主導型臨床治験を実施してきた強固な実績を有しています。

当社詳細につきましては <https://medicinova.jp/> をご覧下さい。本社所在地はアメリカ合衆国カリフォルニア州

ラ・ホイヤ、スイート 300、エグゼクティブ・スクエア 4275（電話 1-858-373-1500）です。

注意事項

このプレスリリースには、1995 年米国民事証券訴訟改革法（The Private Securities Litigation Reform Act of 1995）に規定される意味での「将来の見通しに関する記述」が含まれている可能性があります。これらの記述には、MN-166、MN-001、MN-221 及び MN-029 の治療法の将来における開発や効果に関する記述などが含まれます。これらの「将来の見通しに関する記述」には、そこに記述され、示されたものとは大きく違う結果または事象に導く多数のリスクまたは不確定要素が含まれます。かかる要素としては、MN-166、MN-001、MN-221、または MN-029 を開発するための提携先または助成金を得る可能性、当社の事業または臨床開発を行うために十分な資金を調達する可能性、将来の臨床治験のタイミング、費用、計画など、臨床治験、製品開発および商品化に付随するリスクや不確定要素、FDA に対して書類を提出するタイミング、臨床開発及び商品化のリスク、現段階の臨床治験の結果が必ずしもその後の製品開発の行方を確定するものではない可能性、当局の承認取得の遅延または失敗の可能性、臨床治験の資金を第三者機関に頼ることによるリスク、商品候補に対する知的財産権に関するリスク及びかかる権利の防御・執行能力に関するリスク、製品候補の臨床治験または製造を依頼している第三者機関が当社の期待通りに履行できない可能性、さらに臨床治験の開始、患者登録、完了または解析、臨床治験計画の妥当性または実施に関連する重大な問題、規制当局への書類提出のタイミング、第三者機関との提携またはタイムリーな資金調達の可否などに起因する遅延及び費用増大に加え、当社が米国証券取引委員会に提出した 2023 年 12 月期の Form10K 及びその後の 10Q、8K など届出書に記載されているものも含め、しかしそれに限定されないその他のリスクや不確定要素があります。したがって、「将来の見通しに関する記述」はその時点における当社の状況を述べているにとどまり、実際の結果または成り行きは、必ずしも予想通りにはならない可能性があることにご留意下さい。また当社には、この記述に関して、情報の修正または更新を行う義務はありません。