

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 JASDAQ)  
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](mailto:infojapan@medicinova.com)

### 第32回 ALS/MND 国際シンポジウムにおける MN-166 (イブジラスト) の ALS を 適応とするフェーズ 2b/3 臨床治験 (COMBAT-ALS) ポスター発表に関するお知らせ

2021年12月10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) (以下「当社」といいます。) は、2021年8月30日公表「第32回 ALS/MND 国際シンポジウムにおける MN-166 (イブジラスト) の ALS を適応とするフェーズ 2b/3 臨床治験 (COMBAT-ALS) に関する発表のお知らせ」のとおり、2021年12月7日からオンラインで開催中の第32回 ALS/MND (筋萎縮性側索硬化症/運動神経疾患) 国際シンポジウムにおいて、現在進行中の ALS (筋萎縮性側索硬化症) \*<sup>1</sup> を適応とする MN-166 (イブジラスト) \*<sup>3</sup> のフェーズ 2b/3 臨床治験 (COMBAT-ALS 臨床治験) \*<sup>2</sup> に関するポスター発表を行いましたのでお知らせします。

本発表のタイトルは「COMBAT-ALS Phase 2b/3 Trial of MN-166 (Ibudilast) in ALS : Trial Update」(和訳: ALS を適応とする MN-166 (イブジラスト) のフェーズ 2b/3 臨床治験「COMBAT-ALS」について) で、当社サイエンティフィック アフエア 部長の Malath Makhay (マラス マッケイ) 博士が、本シンポジウムのライブポスターセッションにおいて、COMBAT-ALS 治験の目的、科学的根拠、スタディ・デザイン及び治験参加者 (2021年8月時点) の基本背景データ (性別、年齢、人種、発症部位等) について発表いたしました。

さらに、リルゾール治療に関する治験参加基準の変更、遠隔的に行われるクリニカル評価の許可等の、最近行われたプロトコル改訂についても説明を行いました。これらプロトコルの改訂は、リルゾール治療に認容性の問題がある患者さんにも COMBAT-ALS 治験への参加の機会を提供するため、また COVID-19 の流行によって治験施設へのアクセスに制限がある場合を考慮して行われたものであります。

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。

「現在実施中の COMBAT-ALS 臨床治験についての最新情報をこのシンポジウムで発表する目的は、ALS や運動神経疾患の研究者、医師、患者さん、患者さんのご家族・ご友人、そして患者さんをサポートする方々と、この重要な治験に関する情報を共有することにあります。

COVID-19 の流行という厳しい状況にもかかわらず、私たちが実施する治験に参加してくださる患者さんや、治験に携わる医療施設の方々に深く感謝いたします。

私たちは、この臨床治験の実施施設をさらに増やすことに注力してきました。現在、20 の施設で治験が実施されており、今後も登録率が高まることを期待しています。」

### \*1 ALS (筋萎縮性側索硬化症) 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から) 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 年とされています。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。

### \*2 COMBAT-ALS 臨床治験について

COMBAT-ALS 臨床治験は、ALS (筋萎縮性側索硬化症) を対象とした MN-166 (イブジラスト) の効果、安全性及び忍容性を評価するフェーズ 2b/3、多施設共同、無作為化、二重盲検 (12 か月)、プラセボ対照の並行群間比較試験で、12 か月の二重盲検期間後に、6 か月のオープンラベル拡大投与試験を設けています。組み入れ基準に合致する患者さんは、1 : 1 の割合で無作為に、100mg/日の MN-166 (イブジラスト) またはプラセボ投与群に割り付けがなされます。本臨床治験は、米国、カナダ、欧州の 30 の施設で、患者組み入れ数 230 名を予定しています (治験番号 : NCT04057898)。

主要評価項目は、12 か月時点 (打ち切りの場合は死亡前の最終観察日) での ALSFRS-R スコアのベースラインからの変化、および生存期間です。副次的評価項目は、安全性と忍容性、レスポンス解析 (12 か月間の ALSFRS-R スコアの安定または改善)、筋力、QOL (生活の質) です。

ALS を対象とした MN-166 (イブジラスト) のポテンシャルを広く周知する目的で、当社が主催したウェビナーが下記から視聴可能です。本ウェビナーでは、COMBAT-ALS 臨床治験の主要責任医師である Björn Oskarsson (ビョルン オスカーソン) 博士、及び ALS を対象とした MN-166 (イブジラスト) の効果の評価する最初の臨床治験を実施した Benjamin Brooks (ベンジャミン ブルックス) 博士らに、MN-166 (イブジラスト) の作用機序、COMBAT-ALS 臨床治験の治験デザイン、そして、ALS を対象として実施されたフェーズ 2 臨床治験から得られた知見等について紹介していただきました。

(ウェビナーの視聴サイト)

<https://medicinova.com/medicinova-webinar/>

(日本語字幕付きウェビナー視聴サイト)

<https://www.youtube.com/watch?v=fFQrmyEVOeE>

### \*3 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-1 $\beta$ 、TNF- $\alpha$ 、IL-6 などを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。

### 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）及び変性性頸椎脊椎症（DCM）で臨床第3相段階、進行性の多発性硬化症（MS）において臨床第3相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）及び薬物依存症の治療薬として臨床第2相段階にあります。

MN-001（タイペルカスト）は、特発性肺線維症（IPF）を対象に臨床第2相を実施中であり、非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）について、臨床第2相の準備段階にあります。

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。