

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

第35回 ALS/MND 国際シンポジウムにおける MN-166 (イブジラスト) の
筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 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

2024年12月5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、2024年12月6日から8日にかけてカナダ ケベック州モントリオールにて開催中の第35回 ALS/MND 国際シンポジウムにおいて、MN-166 (イブジラスト) ^{*1} の筋萎縮性側索硬化症 (ALS) ^{*2} を適応とするフェーズ 2b/3 臨床治験 (COMBAT-ALS スタディ) に関するポスター発表を行いますのでお知らせします。

“COMBAT-ALS Phase 2b/3 Trial of MN-166 (Ibudilast) in ALS: Trial Update and Interim Analysis Results”

(和訳: COMBAT-ALS フェーズ 2b/3 治験の治験アップデート及び中間解析結果) と題されたポスター発表は本治験の主任治験責任医師である Björn Oskarsson 医学博士 (Björn Oskarsson MD, FAAN) により、ポスターセッション B において、現地時間 12月7日 (土曜日) に行われます。

当ポスター発表のハイライトは以下の通りです。

- 2024年11月15日時点で計217名の患者さんが治験登録され、そのうち183名が MN-166 群またはプラセボ群に割り当てられた
- 事前にスタディ・プロトコールにて規定していた通り中間解析が実施された
 - 中間解析の目的: 6ヵ月目のデータと12ヵ月目のデータとの相関を評価し、12ヵ月間の DB 相期間試験デザインを評価すること
 - 解析対象集団: 6ヵ月時点に加え、6ヵ月目以降に少なくとも1つの ALSFRS-R データがある患者において Combined Assessment of Function and Survival (CAFS) スコア、修正 CAFS スコア、ALSFRS-R スコアの6ヵ月目と12ヵ月目のスコアの相関分析を行った
 - 解析結果: CAFS スコア (0.71)、修正 CAFS スコア (0.70)、ALSFRS-R スコア (0.69) に、6ヵ月目と12ヵ月目のデータに正の相関が認められた。
※カッコ内はスピアマン順位相関係数
 - サブグループ解析では、Bulbar スコア (0.74)、Fine motor スコア (0.71)、Gross motor

スコア (0.67) で正の相関が認められたが、Respiratory スコアでは認められなかった。

※カッコ内はスピアマン順位相関係数

- 中間解析結果は外部独立データ安全性モニタリング委員会 (Data Safety Monitoring Board ; DSMB) により検証され、委員会からの進言により、治験実施計画書に従い治験を継続することが決定された

当社取締役兼 CMO の松田和子は以下のようにコメントしています。

「中間解析の結果、6 ヶ月目のデータと 12 ヶ月目のデータにポジティブな相関が観察され、治療期間の変更が検討されましたが、協議の結果、DSMB の進言に従い現在の治療計画のまま治験を継続することにしました。この中間解析の結果は、ALS のような進行の早い疾患におけるスタディデザイン決定の参考になるものと考えます。新型コロナウイルス感染症流行の影響で、治験進捗に遅れが生じた時期もありましたが、2024 年 11 月中旬時点で 200 名を超える患者登録、180 名を超える患者割り当てが完了しました。現在の進捗ペースで進めば来年 6 月頃には患者割り当てが完了し、2026 年には治験結果が明らかになると予想しています。私達は本治験の 6 ヶ月のオープン・ラベル・フェーズ (参加者全員が実薬 MN-166 を 6 ヶ月服用するフェーズ) 完了後も引き続き MN-166 治療継続を希望する患者さん達のために、既に FDA の Expand Access Program を通して継続治療をサポートしています。来年度は米国 NIH 助成のもと大規模な Expand Access Program が開始される予定で、更に多くの ALS 患者さんへ MN-166 による治療機会を提供出来ることは私たちにとって、大変有意義に感じています。」

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おります。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 年と言われております。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 (タイベルカスト) 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。