

2025 年 7 月 24 日

各位

会 社 名	M e d i c i N o v a , I n c		
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 兼最高医学責任者 (CMO)	松田 和子	
	電話：03-3519-5010 E-Mail：infojapan@medicinova.com		

MN-166（イブジラスト）及びMN-001（タイペルカスト）に関する
臨床試験の進捗に関するお知らせ

2025 年 7 月 24 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、当社の主力開発化合物の MN-166 (イブジラスト) ^{*1} 及び MN-001 (タイペルカスト) ^{*2} について、進行中の 2 件の臨床試験における進捗についてお知らせいたします。

なお、本件は適時開示基準には該当しませんが、今後予定している米国での報告会等で公表をするものであり、日米での情報発信に差異が生じることを避けるため、任意で開示を行うものです。

MN-166（イブジラスト）においては、現在進行中の ALS（筋萎縮性側索硬化症）^{*3}を対象としたフェーズ 2/3 臨床試験（COMBAT-ALS スタディ）の患者登録が進行し、患者登録の完了までに必要な患者割当数が残り一桁まで進捗いたしました。

MN-001（タイペルカスト）においては、2 型糖尿病*⁴による高中性脂肪血症、脂肪性肝疾患を有する患者を対象としたフェーズ 2 臨床試験の患者登録が進行し、残り 2 例の患者割当により患者登録が完了する予定です。

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。

「当社の中核プログラムで引き続き力強い進展が見られていることをご報告いたします。

MN-166 では、COMBAT-ALS スタディにおいて、昨年の中間結果の発表に続き、現在は患者登録の完了が目前に迫っており、本治験の重要なマイルストーンに達する見込みです。

当社の MN-166 による ALS プログラムは、ALS コミュニティからも大きな関心と期待を集めており、並行して実施されている拡大アクセスプログラム (EAP) も、米国国立衛生研究所 (NIH) から 2,200 万ドル (約 32 億円) の助成を受け、着実に患者登録が進んでいます。

COMBAT-ALS スタディのトップラインデータは来年末までに得られる見込みで、現在、FDA 他、規制当局との協議に向けた準備を進めております。

また MN-001 については、2 型糖尿病による脂質異常症および脂肪肝疾患の患者に対して、新たな可能性があると考えています。

これらのプログラムはいずれも、治療が確立していない医療ニーズの高い疾患領域に関するもので、今後各試験から得られる成果を皆様にご報告できることを楽しみにしております。」

なお、本件が当社の 2025 年 12 月期の業績に与える影響はありません。

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-18、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 MN-001 (タイペルカスト) について

MN-001 は、複数のメカニズムを有する経口投与の新規低分子化合物です。主な作用メカニズムはロイコトリエン受容体拮抗作用、ホスホジエステラーゼ (PDE、主に-3 および 4) の阻害作用、5-リポキシゲナーゼの阻害などで、これらの複数のメカニズムを通して 5-リポキシゲナーゼ (5-LO) 経路を介した炎症抑制効果や線維化予防効果が知られています。

当社が過去に実施した臨床治験から、MN-001 が血中の中性脂肪 (トリグリセリド: TG) を減少させる事を見出しました。高中性脂肪症を呈する NASH (非アルコール性脂肪性肝炎) 又は NAFLD (非アルコール性脂肪性肝疾患) 患者を対象としたフェーズ 2 臨床治験では、中性脂肪以外の脂質プロファイルも改善しました。現在、当社は糖尿病性脂肪異常症による NAFLD を適応とする新薬として開発しております。当社は、北米 (米国、カナダ)、ヨーロッパ、東アジア (日本、中国、韓国) などにおいて、高中性脂肪血症、高コレステロール血症及び高リポタンパク血症などの脂質代謝異常疾患をカバーする特許や NASH 及び NAFLD をカバーする特許、線維化疾患をカバーする特許を有しています。

* 3 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 年と言われています。米国 ALS 協会によると、現在米国にはおよそ 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。

* 4 2 型糖尿病について

糖尿病は、血糖値と呼ばれる血液中のブドウ糖濃度が、適正值よりも高い状態が慢性的に続く病気で、血液中のブドウ糖を細胞へ届けるインスリンというホルモンの分泌不足や働きに異常が生じることで発症します。そして、糖尿病は発症の原因によって、「1 型」と「2 型」、「その他」、「妊娠糖尿病」に分類されます。「2 型」糖尿病は、遺伝的な要因に運動不足や食べ過ぎなどの生活習慣が加わって発症すると考えられていますが、はっきりとした原因はまだわかっていません。糖尿病患者の 95%以上が 2 型といわれていて、中高年に多く発症します。2 型糖尿病では、インスリンは分泌されているものの、働きが悪くて血糖値が下がらない (インスリン抵抗性) 場合や、分泌そのものが減っている (インスリン分泌低下) 場合があります。

メディシノバについて

メディシノバ (MediciNova, Inc.) は、米国を拠点とする臨床開発ステージにあるバイオ医薬品開発企業です。炎症性疾患、神経変性疾患、癌などの様々な疾患領域において、開発後期ステージの広範な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) は複数の作用機序を持つ低分子化合物です。動物モデルスタディで様々な効果が確認されているほか、これまでの臨床経験において高い安全性プロファイルを有しています。

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）で臨床第Ⅲ相（フェーズ 3）段階の治験が進められています。他にも膠芽腫（グリオブラストーマ）及び嗜好品依存症の治療薬候補品として臨床第Ⅱ相（フェーズ 2）段階にあります。

MN-001（タイペルカスト）は、糖尿病による脂質異常症・非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）を対象に、臨床第Ⅱ相（フェーズ 2）段階の治験が進められています。

当社は、欧米政府や公的機関からの研究資金助成を受け、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/> をご覧ください。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 2024 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。