

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)
 (ティッカーシンボル：MNOV NASDAQ グローバル)
 問合せ先 取締役兼シニアバイスプレジデント 松田 和子
 最高医学責任者 (CMO) 東京事務所代表
 電話：03-5532-5912
 E-Mail：infojapan@medicinova.com

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
フェーズ 2b/3 臨床試験の二重盲検治療期間における最終患者最終来院完了に関するお知らせ

2026年9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、MN-166 (イブジラスト)^{*1} の筋萎縮性側索硬化症 (ALS)^{*2} を対象とするフェーズ 2b/3 臨床試験 (COMBAT-ALS) において、二重盲検期間の最終患者最終来院 (LPLV: Last Patient Last Visit) が完了したことをお知らせします。

本臨床試験は、MN-166（イブジラスト）の有効性、安全性及び忍容性を評価するためにデザインされた無作為化・二重盲検・プラセボ対照試験です。12 か月間の二重盲検治療期間と、それに引き続く 6 か月間のオープンラベル期間で構成されています。

主要評価項目は、CAFS スコア（Combined Assessment of Function and Survival）です。（訳注：CAFS は、ALS 患者の身体機能などを評価する ALS 機能評価スケール改訂版（ALSFRS-R）スコアと生存期間を統合し、治療効果を包括的に評価する指標です。）

副次評価項目には、ALSFRS-R の変化、ハンドヘルドダイナモメトリー（HHD）による筋力測定、ならびに患者さん自身による生活の質の評価が含まれます。

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。

「このたび、COMBAT-ALS 試験の二重盲検治療期間における最終患者最終来院を完了できたことは、当社にとって極めて重要な節目となります。まずは、本試験にご参加いただいた患者さんをはじめ、そのご家族、ならびに患者さんの日々の生活を支えてこられた介護者・ケアパートナーの皆様、心より感謝申し上げます。また、治験責任医師、治験分担医師、治験コーディネーターをはじめとする各実施医療機関の医療スタッフの皆様、ならびに本試験の実施を支えてくださったすべての関係者の皆様、深く御礼申し上げます。皆様の多大なご協力と献身なくして、この重要なマイルストーンを達成することはできませんでした。

当社は、ALS という深刻な疾患とともに歩む患者さんに新たな治療選択肢をお届けすることを目指し、引き続き本試験の二重盲検部分のデータベースロックとデータ解析を着実に進めてまいります。

トップラインデータの公表は2026年末を予定しています。

なお、本件が 2026 年 12 月期の当社連結業績に与える影響はありませんが、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-1 β 、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 年とされています。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います。

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 (タイベルカスト) 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)、頸椎症性脊椎症 (DCM) で臨床第Ⅲ相 (フェーズ 3) 段階の治療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 (タイベルカスト) 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) 段階の治療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試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、将来の臨床試験のタイミング、費用、計画など、臨床試験、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、現段階の臨床試験の結果が必ずしもその後の製品開発の行方を決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、臨床試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、製品候補の臨床試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、さらに臨床試験の開始、患者登録、完了または解析、臨床試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。