



社長メッセージ

株主の皆様へ

秋も深まり、朝夕には涼しさを感じる季節となりました。株主の皆様におかれましては、平素より当社の事業活動に温かいご理解とご支援を賜り、心より御礼申し上げます。

先日、当社は、[2型糖尿病に伴う高中性脂肪血症及び非アルコール性脂肪性肝疾患 \(NAFLD\) の患者さんを対象に MN-001 \(タイペルカスト\) を評価した治験のトップラインデータを公表いたしました](#)。本日は、その補足として、試験結果に対する当社の受け止めと今後の開発方針を株主の皆様にご説明いたします。

本試験は、40名の2型糖尿病患者さんを対象に行った探索的試験です。主要評価項目である24週時点の血清中性脂肪値及び肝脂肪量について、プラセボ群との間に統計学的有意差は認められませんでした。一方、その他の評価項目では、プラセボ群と比較して、高比重リポ蛋白コレステロール (HDL-C) 及び HDL 粒子濃度 (HDL-P) に統計学的に有意な改善が認められ、血清中性脂肪値についても試験開始後4週時点では統計学的に有意な低下が確認されました。また治験終了時にはプラセボ群に比べ MN-001 群で体重の減少も認められました。これらの結果は、MN-001 の作用機序を検討したこれまでの非臨床試験や過去の臨床治験での知見と一致しています。また、私達がこのサイズの探索的試験で予想していた改善の方向性とも整合するものでした。

現在、患者さんが使用していた併用薬や試験開始時点での脂質異常の重症度が結果に及ぼした影響など、今回得られた結果をより深く理解するため、全データの追加解析を進めています。本試験における MN-001 の忍容性・安全性は良好で、MN-001 に関連する重篤な有害事象は報告されませんでした。これは、本治験よりも高用量を用いた過去の治験を含む、これまで MN-001 の投与を受けた650例を超える被験者で確認されている良好な安全性プロファイルと一致しています。

当社は、様々な評価項目において今回確認された結果は臨床的な意義があると考えており、また、この治療領域における MN-001 の概念実証 (プルーフ・オブ・コンセプト) を示すという全体的な目標を達成したと考えています。今回の結果は、今後の MN-001 の開発を支持するものです。解析が十分に進んだ段階で、その結果を基に、今後の開発方針を含め、本適応症における次のステップを検討し、適切な時期に最新情報をお知らせいたします。

また、ALS (筋萎縮性側索硬化症) を対象とする当社の主要開発品 MN-166 (イブジラスト) についても、重要な節目が近づいています。9月には、[ALS 患者さん 234 例を対象に MN-166 を評価するフェーズ 2b/3 試験 COMBAT-ALS の二重盲検期間において、最後の患者さんの最終来院が完了した](#)ことを発表しました。本試験の主要評価項目は、機能と生存期間の複合評価 (Combined Assessment of Function and Survival : CAFS) であり、年末までにトップライン結果を発表する予定に変更はありません。MN-166 は、ALS を対象として米国食品医薬品局 (FDA) からファストトラック指定及びオーファンドラッグ指定を受けており、欧州でもオーファンドラッグ指定を受けています。ALS は、依然として治療選択肢が限られている深刻な疾患です。

今後も、代謝性疾患における MN-001 の開発について、継続して情報をお伝えしてまいります。当社は、MN-001 は引き続き開発に取り組む価値のある候補薬であり、これまでに確

認された兆候を心強く受け止めています。また、COMBAT-ALS のトップライン結果をお知らせし、ALS とともに生きる方々の新たな治療選択肢となる可能性を持つ MN-166 の開発を前進させることを楽しみにしています。

株主の皆様からの継続的なご支援に心より感謝申し上げますとともに、今後も株主の皆様の長期的な価値の創出に努めてまいります。

以 上

2026 年 10 月 12 日

MediciNova, Inc.
代表取締役社長兼 CEO
岩城裕一