

2015年10月09日

MediciNova, Inc.  
代表取締役社長兼 CEO

岩城 裕一

コード番号： 4875 東証 JASDAQ

問合わせ先： 東京事務所代表 副社長

岡島 正恒

電話番号： 03-3519-5010

E-mail： info@medicinova.com

### MN-001 の特発性肺線維症 (IPF) を適応とする

#### フェーズ 2 臨床治験開始のお知らせ

2015年10月9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) は、中等度から重度の特発性肺線維症 (IPF) 患者を対象とする MN-001 のフェーズ 2 臨床治験について、ペンシルバニア州立大学(主任治験責任医師 Rebecca Bascom 博士)との間で治験に関する交渉が完了し、同大学ミルトン・S・ハーシーメディカルセンターの治験審査委員会の承認を得たので、フェーズ 2 臨床治験の開始をお知らせします。ペンシルバニア州立大学は、今秋から患者登録を開始する見込みです。

なお、本件が当社の 2015 年 12 月期の業績に与える影響は、現在のところ未定ですが、確定次第速やかに発表させていただきます。

#### 治験デザインについて

本フェーズ 2 臨床治験は、中等度から重度の特発性肺線維症患者を対象として、MN-001 の効果、安全性及び認容性を評価するために、プラセボを対照とする 6 ヶ月間の無作為二重盲検比較に続き、6 カ月間のオープンレベル (非盲検) 投薬を行う単一施設治験です。二重盲検比較期間 (26 週間) には、約 15 名の被験者を 2:1 の比率 (MN-001 群：プラセボ群) となるように無作為に振り分け、MN-001 (1 日 2 回×750mg) またはプラセボを経口投与します。二重盲検比較期間完了後は、さらに 6 カ月間、被験者はオープンレベル投薬期間に入り、すべての被験者が 1 日 2 回、750mg の MN-001 の投与を受けます。なお、最後の薬剤投与後 4 週間以内に、フォローアップの外来受診が必要となります。

本治験の主要評価項目は、1) 努力肺活量、および努力肺活量の予測パーセント値のベースラインから 26 週での変化、2) 努力肺活量に基づく 6 ヶ月間における疾患活動性の低下率、を用いて MN-001 の効果を評価することです。副次的評価項目は、MN-001 の安全性及び認容性、6 分間歩行テスト (6MWT) に基づく疾患活動性の 6 ヶ月間の低下率、呼吸困難 (息切れ) スケール(MMRC)に基づく疾患活動性のベースラインからの変化、特発性肺線維症 QOL 評価ツール (ATAQ-IPF) で測定した QOL のベースラインからの変化、特発性肺線維症の増悪の頻度及び最初の急性増悪までの時間などです。

米国 FDA(食品医薬品局)は、すでに中等度から重度の患者を対象とする本臨床治験のプロトコルを承認しております。また、2015 年 2 月 10 日付プレスリリースで開示の通り、当社が過去に別の適応疾患で実施した MN-001 の臨床治験安全性データに基づき、FDA は、特発

性肺線維症での臨床治験をフェーズ 2 から開始することを承認しました。当社は FDA 呼吸器・アレルギー・リウマチ部門からすでに臨床治験開始の承認 (IND) を受けております。また、2014 年 10 月 23 日付プレスリリースで開示のとおり、MN-001 は、特発性肺線維症治療適応を対象に、FDA よりオーファンドラッグの指定を受けており、これにより、承認後 7 年間の排他的先発販売権が与えられます。これに加えて、2015 年 9 月 10 日付プレスリリースで開示のとおり、MN-001 は、特発性肺線維症適応を対象に、FDA よりファストトラック指定を受けました。ファストトラックにおける重要なポイントは、医薬品開発の効率を高めるために、開発及び承認審査の全過程において、FDA と製薬企業の間で迅速かつ頻繁な連絡・協議が行われることです。

### 特発性肺線維症 (IPF : Idiopathic Pulmonary Fibrosis) とは

肺線維症は肺実質の損傷瘢痕化による線維化を特徴とし、不可逆な拘束性換気障害 (肺が伸縮性を失い固くなることで十分に換気出来ない状態) をきたす進行性肺疾患です。肺の線維化は抗がん剤の副作用、化学物質への暴露など様々な原因で起こり得ますが、中でも原因不明の特発性肺線維症は、米国での罹患者は約 12.8 万人と言われ、さらに毎年約 4.8 万人が新たに診断されているとのこと。特発性肺線維症は予後不良な難病で、患者の約三分の二が診断から 5 年以内に亡くなると言われています。

### MN-001 (Tipelkast、タイペルカスト) について

MN-001 は、経口投与の新規化合物で、いくつかのメカニズムによって線維化を抑える効果や炎症を抑える効果が期待されています。MN-001 には、ロイコトリエン受容体拮抗作用、フォスフォジエステラーゼ III 及び IV、5-リポキシゲナーゼ、フォスホリパーゼ C、トロンボキサン A2 の阻害などが認められております。近年では、5-リポキシゲナーゼ (5-LO) 経路を介したロイコトリエン生合成阻害による炎症の軽減および、線維化の予防の可能性が知られております。また、MN-001 は、遺伝子レベルでは LOXL2、Collagen Type1 TIMP-1 などの線維化を促進させる遺伝子や、CCR2、MCP-1 などの炎症を促進させる遺伝子発現を抑制することが知られています。また各種、線維化疾患動物モデルにおいて、病理組織検査において線維化を改善することが確認されました。

過去に当社は、MN-001 を気管支喘息薬として臨床開発を進めており、フェーズ 2 臨床治験では良好な結果が得られておりました。また、MN-001 は、現在まで 600 名以上の方に投与されており、良好な安全性及び認容性が確立されております。

以上

### メディシノバについて

メディシノバ (Medicinova, Inc.) は、日本内外の国際的製薬企業との提携により有望な低分子化合物を導入し、様々な疾患領域の新規医薬品の開発を主として米国で行う公開製薬企業です。現在当社は、進行型多発性硬化症、ALS、薬物依存 (メタンフェタミン依存、オピオイド依存など) をはじめとする多様な神経系疾患を適応とする MN-166 (イブジラスト) 及び NASH、肺線維症など線維症疾患を適応とする MN-001 (タイペルカスト) に経営資源を集中することを戦略としております。ほかに喘息の急性発作適応の MN-221 (ベドラドリン) 及び固形がんを適応とする MN-029 (デニブリン) も当社のパイプラインの一部です。MN-166 についてはさまざまな適応で開発途中ですが、そのほとんどが、治験責任医師または公的、私的機関からの資金援助により行われています。当社はさらに、戦略的提携または共同機関の資金提供を受けるべく交渉を続けております。

弊社詳細につきましては <http://www.medicinova.jp> をご覧下さい。メディシノバの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 650、エグゼクティブ・スクエア 4275（電話 1-858-373-1500）です。

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、製品候補の治療法としての新規性および効能を実証する臨床治験に関する記述、既存または将来の臨床治験の計画や目的および製品開発に関する計画または目的に関する記述などが含まれます。このような記述には、臨床治験の結果、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こと、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、当社の戦略の失敗、第三者との提携構築などによりイブジラストに関する開発プログラムを統合することにより期待される戦略的、財務的メリットを実現する可能性、イブジラストに関する開発プログラムを進めるための戦略的提携交渉、または、資金調達の可能性、知的財産権や契約上の権利を初めとして、当社が米国証券取引委員会に提出した届出書に記載されているものも含めたその他のリスクや不確定要素など、その多くは当社のコントロールが及ばないいくつかの前提、リスク、不確定要素の影響を受けるものであります。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。