

各位

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-166 の早期乳児型クラッペ病治療適応に対する FDA の希少小児疾患治療薬候補指定のお知らせ

2016年1月18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、FDA が、早期乳児型 (1型) クラッペ病治療を適応とする MN-166 (イブジラスト) を、希少小児疾患 (Rare Pediatric Disease) 治療薬候補に指定したことをお知らせします。FDA の希少小児疾患優先審査プログラムにおける大きな特徴は、開発企業が、その後の医薬品開発申請の際の優先審査を可能にするバウチャーを与えられる可能性があることです。また、当社はすでに 2015年6月に、クラッペ病治療適応の MN-166 に対しオーファンドラッグ指定を受けています。今後、当社は、小児科領域で FDA 及び臨床専門医と緊密に連携を取りながら、1型クラッペ病を適応とする MN-166 の臨床開発を行っていく予定です。

なお、本件が当社の 2016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。

クラッペ病について

クラッペ病は、非常にまれな、遺伝性の神経変性疾患で、現在のところ根治療法はなく、通常2歳までに死にいたるといわれる難病です。現在、治療法として唯一、造血幹細胞移植がありますが、この治療法は様々な危険を伴い、効果も限定的と考えられています。発症時期の違いにより、4つの臨床型 (1-4型) に分類されます。圧倒的に多いのは (約90%の患者)、生後6カ月以内に発症するタイプです (1型：早期乳児型)。易刺激性 (些細な事で過度に号泣するなど)、手足のけいれん、神経反射の欠如、筋力の低下、授乳困難 (哺乳がうまく出来ない)、感染の兆候のない発熱、姿勢のこわばり、神経認知機能の発達の遅れ・退行などが初期の症状として見られます。病気の進行とともに、筋力はますます衰え、幼児期には移動したり咀嚼や嚥下することや、呼吸までが困難になります。その後は視力やつかむ力を失い、急速に除脳硬直を示し、多くは2歳の誕生日を迎える前に死亡してしまいます。クラッペ病の約10%の患者は、早期乳児期以降に発症します。(成人発症型を含む。2-4型) 進行性の視覚低下、歩行障害、思考能力の低下、手先の動きの硬直及び筋力低下などが、この型に典型的な初期症状ですが、病気の兆候や症状にはかなりの個人差があります。これらの早期乳児以降に発症するクラッペ病は、退行の進行が早期発症型に比較して緩やかで、早期乳児期発症型 (1型) のクラッペ病に比べ非常に長く生きられる可能性があります。

希少小児疾患 (Rare Pediatric Disease) 指定とは

FDA によれば、希少小児疾患とは、1) 主に出生から 18 歳までに発症する、2) 米国における患者数が 20 万人未満の疾病または症状を指します。希少小児疾患プログラムの優先審査バウチャーは、医薬品の承認取得について追加のインセンティブを提供することにより、小児科領域の希少疾患治療のための新薬開発を促すことを目的としています。本プログラムのもとでは、希少小児疾患に関する新薬承認申請または生物製剤承認申請に対して承認を受けた開発企業が、その後の医薬品開発申請の際の優先審査を可能にするバウチャーを得る資格を与えられる可能性があります。さらにこのバウチャーは、他の開発主体に売却、移転することができます。

MN-166 (イブジラスト) とは

イブジラストは、日本と韓国で、喘息及び脳梗塞発作後の症状の治療薬としてすでに25年以上使用されています。当社はMN-166を、再発寛解型多発性硬化症を適応とする治療薬候補として、キョーリン製薬からライセンス導入しました。その後当社は、進行型多発性硬化症及び神経症状についての知的所有権を取得しました。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、ホスホジエステラーゼ-4及び-10の阻害剤、マクロファージ遊走阻止因子(MIF)阻害剤で、炎症促進作用のあるサイトカイン、IL-1 β 、TNF \cdot a、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。

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>をご覧ください。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、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

及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 2014 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。