

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

### 第27回 ALS/MND 国際シンポジウムにおける MN-166 の ALS を適応とする臨床治験の中間臨床結果データ発表のお知らせ

2016年12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、アイルランドのダブリンで開催中の第27回 ALS/MND (筋萎縮性側索硬化症/運動神経疾患) 国際シンポジウムにおいて、ALS (筋萎縮性側索硬化症) を適応として現在実施中の MN-166 の臨床治験における新たな中間解析の結果について、治験主任責任医師のカロライナ・ヘルスケアシステムの神経科学研究所、神経筋/ALS・MDA センター所長ベンジャミン・リックス・ブルックス博士より発表されましたのでお知らせいたします。

本中間解析は、6ヶ月の二重盲検期間に引き続き、6ヶ月のオープンレベル期間 (全治験者が MN-166 を服用) を完了した 26名の患者について行われました。26名の患者は全員、オープンレベル期間中に MN-166 を服用し、全治験期間の完了する治験開始後 12ヶ月の時点 (12ヶ月目) で、MN-166 の服用を終了しました。本中間解析は、MN-166 服用を止めた後の影響を分析することを目的とし、12ヶ月目 (全治験期間の完了時=MN-166 服用完了時) と、12ヶ月目から更に2週間後 (MN-166 の服用完了から2週間後) の二つの時点で比較されました。

本学会発表タイトルは、「Adaptive design single centre phosphodiesterase type 4 (PDE-4) inhibitor [MN-166 (Ibudilast)] Phase 1b/2a clinical trial double blind with open label extension for ALS patients: Interim-blinded analysis, behaviour of creatinine as a biomarker in short clinical trials」で、本プレゼンテーションの要旨は下記のとおりです。

- MN-166(イブジラスト)の服用を止めた2週間後  
以下の筋力評価項目で統計学的有意差のある悪化/低下が認められた
  1. 股関節屈曲性=股関節筋力の評価 (p=0.001)
  2. 脚屈曲性=脚筋力の評価 (p=0.049)
  3. 頸部屈曲性=首筋力の評価 (p=0.004)

以下の評価項目で、悪化/低下傾向が認められた (統計学的有意差なし)

1. 機能障害の程度を判定する ALSFRS-R (改訂版 ALS 機能評価スケール) 総スコア
  2. 呼吸機能を示す肺機能検査における Vital Capacity : 肺活量
- MN-166 の認容性は良好であった

以上の解析から、MN-166服用を止めた後、短期間で、ALS患者の様々な臨床症状の悪化/低下が認められたことが明らかになりました。

本件が当社の2016年12月期の業績に与える影響は軽微と考えております。

#### **ALSを適応とする臨床治験について**

当社は現在、カロライナ・ヘルスケアシステムの神経科学研究所、神経筋/ALS・MDAセンター所長のベンジャミン・リックス・ブルックス博士とともに、初期及び進行ALS患者を対象とするMN-166の治験を行っております。本治験は、6ヶ月間のプラセボ対照、無作為二重盲検に続き、オープンレベル(非盲検)6ヶ月の合計12ヶ月の治験です。本治験はMN-166の安全性、認容性及び治療効果を評価しますが、治療効果の評価には改訂版ALS機能評価スケール(ALS患者の包括的な重症度指標)、呼吸機能、筋力などの評価項目を含みます。呼吸機器のサポートを受けないALS患者60名及びNIV(非侵襲的換気補助器)のサポートを受けているALS患者60名の、合計120名の患者登録を予定しています。

#### **ALS(筋萎縮性側索硬化症)とは**

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)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2-5年とされています。米国ALS協会によると、現在米国には概そ20,000人のALS患者がおり、さらに毎年約6000人が新たに診断されているとのことです。現在承認されている治療薬はリルゾールのみで、その効果は限定的です。

#### **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、進行型多発性硬化症及びALS、薬物依存をはじめとする神経症状を適応としてMN-166の開発を行っています。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 $\beta$ 、TNF $\cdot$ a、IL-6などを阻害する働きを有しております。また、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。当社は、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。

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2015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。