

2025年7月16日

各位

会社名 株式会社レナサイエンス
代表者名 代表取締役会長兼社長 宮田 敏男
(コード：4889 東証グロース)
問合せ先 管理部
(TEL. 022-727-5070)

**国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所の
希少疾病用医薬品等試験研究助成事業採択のお知らせ**

当社が開発する悪性黒色腫¹⁾治療薬 RS5614(PAI-1 阻害薬)は 2024 年 8 月 28 日付で厚生労働省より希少疾患用医薬品²⁾の指定を受けております。当社は、希少疾患用医薬品に指定された医薬品開発のみ申請可能な助成事業の国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所の令和 7 年度希少疾病用医薬品等試験研究助成事業に、当社が実施している悪性黒色腫の第Ⅲ相医師主導治験(ニボルマブ³⁾)との RS5614 の併用の有効性及び安全性を検証する第Ⅲ相ランダム化プラセボ対象二重盲検医師主導治験を対象として申請しておりましたが、この度、採択されましたのでお知らせいたします。

1. 採択事業について

事業名 : 令和 7 年度希少疾病用医薬品等試験研究助成事業
申請品目 : 悪性黒色腫治療薬 RS5614 (PAI-1 阻害薬)
助成期間 : 2025 年 4 月～2026 年 3 月 (原則最大 3 事業年度まで)。
事業年度毎に助成金交付申請を行う必要あり。
助成対象 : 厚生労働大臣から指定を受けた希少疾病用医薬品等の製造販売承認申請を行うために必要な試験研究(製造販売承認申請に係る添付資料作成のための開発費用)が対象。
助成金額 : 助成対象となる経費の 2 分の 1 を上限とし、令和 7 年度希少疾病用医薬品等試験研究助成事業予算の範囲内で事業年度毎に助成金額が決定。

悪性黒色腫患者の罹患率は日本国内では 10 万人に 1.5～2 人、総患者数は約 5,000 人の希少疾患ですが、米国では 10 万人あたり 21.0 人、有病者数は 140 万人もいる難治性の皮膚がんです。免疫チェックポイント阻害薬⁴⁾の抗 PD-1 抗体ニボルマブの登場で、進行性悪性黒色腫(メラノーマ)の治療は大きく改善しました。さらに、抗 CTLA-4 抗体イピリムマブ⁵⁾が開発され、抗 PD-1 抗体単独での奏効率(2 割程度)を高める併用療法も実施されています。しかし、自己免疫疾患の重篤副作用のため単剤投与に比べて投与中止の発現頻度は 4 倍と高く、さらに高額医療費の課題もあるため、副作用が無く、奏効率を上昇させる医薬品の開発が待ち望まれています。

当社が開発する PAI-1 阻害薬 RS5614 は低分子医薬品であり、安全性は極めて高く、自宅でも服用可能な利便性の高い飲み薬です。有効性及び安全性の確認を目的とする第Ⅱ相医師主導治験においてもヒトでの Proof-of-Concept⁶⁾(有効性の証明)を取得し、2024 年 8 月 28 日付で厚生労働省より希少疾患用医薬品の指定を受けました。現在、東北大学病院など国内 18 施設による多施設共同で第Ⅲ相医師主導治験を実施しております。この第Ⅲ相試験は、RS5614 の悪性黒色種に対する薬事承認を得るための検証試験になりますが、本助成金の対象であるため申請しておりました。

本助成金は、上述のとおり 2025 年 4 月～2026 年 3 月(原則最大 3 事業年度まで)において、当社が事業年度毎に助成金交付申請を行うことで、事業年度に悪性黒色腫の関連研究費として支出した経費の 2 分の 1 を上限とし、国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所の当該事業予算の範囲内で事業年度毎に助成を受けられます。

2. 今後の見通し

2026年3月期業績への影響について、2025年5月14日に公表した2026年3月期通期業績予想では、本助成金について、2026年3月期に計上される悪性黒色腫の研究関連経費の20%を事業収益として織り込み開示しております。最終的な助成金額が確定し、開示すべき事項が生じた場合には適時開示いたします。

以上

1) 悪性黒色腫

悪性黒色腫は皮膚がんの一種で、皮膚の色と関係するメラニン色素を産生するメラノサイトという皮膚の細胞が悪性化してできる腫瘍です。皮膚がんの中でも転移率が高くきわめて悪性度が高いとされています。悪性黒色腫患者の罹患率は本邦では10万人に1.5~2人と少ないですが、米国では21.0人の罹患率です。悪性黒色腫は悪性度の高いがんです（5年生存率は、がんの大きさが4mmを超えると50%程度、所属リンパ節転移がある場合は40%程度、遠隔転移がある場合は数%）。さらに、本邦における悪性黒色腫の進行の程度は米国と比べて3倍程度高いことが報告されています。これは、本邦の悪性黒色腫が遺伝的に欧米とは異なっているために治療薬が奏効しづらいためと考えられます。

2) 希少疾患用医薬品

主に、難病といわれるような、患者の数が少なく治療法も確立されていない病気のための医薬品です。対象患者数が5万人未満、難病などの重篤な疾病が対象、医療上の必要性が高い、代替する適切な医薬品や治療方法がない、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性または安全性が期待される、開発の可能性が高いこと、といった指定基準があります。希少疾患用医薬品に指定されると、PMDAの優先的な審査（審査期間の短縮）、薬価算定における市場性加算、さらに承認後の再審査期間が延長されて本治療薬事業の独占期間が長くなります。また、国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所を通じての助成金交付などの支援措置が受けられます。

3) ニボルマブ

プログラム細胞死1（PD-1）という免疫チェックポイント分子を標的とする抗体医薬（ヒト型抗ヒトPD-1モノクローナル抗体）で、免疫系の抑制解除による抗がん作用を狙った医薬品です。代表的な免疫チェックポイント阻害薬です。本邦における悪性黒色腫に対するニボルマブの奏効率は22.2%であり、新たな併用療法の開発が望まれています。

4) 免疫チェックポイント阻害薬

免疫チェックポイント分子の作用を阻害する医薬品で、現在治療薬として用いられている薬剤はすべて免疫チェックポイント分子に直接結合しそれを阻害する抗体医薬です。

5) イピリムマブ

細胞傷害性Tリンパ球抗原-4（CTLA-4）という免疫チェックポイント分子を標的とする抗体医薬（ヒト型抗ヒトCTLA-4モノクローナル抗体）で、ニボルマブとは異なる標的の免疫チェックポイント阻害薬です。ニボルマブ無効例に対して、ニボルマブとイピリムマブとの併用薬として保険適応が認められており、その奏効率は海外21%、国内13.5%と考えられます。しかし、ニボルマブ・イピリムマブ併用療法は、半数を超える患者に重篤な副作用が出現し、単剤投与に比べて投与中止となる重度の免疫関連副作用の発現頻度は4倍と高く、数か月に及ぶ入院やがんに対する治療の中断が必要となることが問題となっています。さらに、高額医療費の課題もあり、抗体とモダリティが異なる経口投与可能で、副作用が少なく、奏効率を上昇させ、安価な併用薬が待ち望まれています。

6) Proof-of-Concept (POC)

想定した新薬候補物質の有効性を非臨床試験や臨床試験で確認することをいい、想定通りの結果が得られた場合は、POCを取得したといえます。