

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 の進行型多発性硬化症を適応とするフェーズ 2b 臨床治験
継続決定のお知らせ**

ーデータ・安全性モニタリング委員会 (DSMB) からの勧告を受けてー

2016年12月19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、現在実施中の進行型多発性硬化症 (Progressive multiple sclerosis) を適応とする MN-166 のフェーズ 2b 臨床治験が当初の予定どおり継続されることをお知らせいたします。

外部独立機関であるデータ・安全性モニタリング委員会 (DSMD) は有効データの中間解析 (治験継続の危険性および無益性の解析) を検証した結果、国立神経疾患脳卒中研究所 (NINDS) に対して、本治験を継続するよう勧告し、それを受け NINDS は本治験の継続を決定しました。(2016年7月13日開示のプレスリリースを参照)

当社が最終的な治験のデータ解析を得られる時期は 2017 年下半期を予想しております。

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。

中間解析について

本臨床治験が科学的かつ倫理的観点から適切に実施され、治験参加患者の利益を保護し、不利益リスクを最小化することなどを目的に、事前に計画された手順に基づき中間解析が行われました。安全性に問題がある場合、治験を継続しても有効性が見込めない (無益：futility) 場合は、治験が中止されます。

本臨床治験について

本臨床治験は、米国国立衛生研究所 (NIH) の支部である国立神経疾患脳卒中研究所 (NINDS) 傘下の臨床治験ネットワーク NeuroNEXT の臨床研究プロジェクトのひとつであり、米国全土 28 カ所の臨床施設において、一次進行型または二次進行型多発性硬化症患者を対象として一日 2 回 MN-166 またはプラセボを投与し、MN-166 の安全性、認容性及び有効性をプラセボと比較し評価するものです。適格を認められた 255 名の被験者は、一日最大 100mg (50mg×2) の MN-166 またはプラセボの投与を受ける群に無作為に振り分けられます。進行型多発性硬化症患者には、長期にわたりインターフェロンβやガラティラメルアセテート (GA) などの再発予防の治療を受けている方々もいれば、そのような治療を受けていない方々もいます。したがって、治験グループ間の無作為化は、併用治療方法 (インターフェロン治療あり/GA治療あり/他の治療なし)、対象疾患の病態 (一次進行型/二次進行型) という 2 つの要素に関して行われています。本臨床治験の主たる目的は、1) 治療開始から 96 週間における脳実質率を用いた MRI 定量分析による全脳萎縮に

についてのMN-166の活動性をプラセボに比較して評価すること、2) 一次進行型または二次進行型多発性硬化症患者におけるMN-166 (最大100mg/日) の安全性・認容性をプラセボと比較して評価することです。副次的な測定項目には、身体障害、脳や網膜組織の画像分析、皮膚の萎縮、認識障害、QOL及び神経性疼痛などがあります。探索的な目的としては薬物動態及びバイオマーカーの解析が挙げられます。

共同プロジェクトについて

本件の共同プロジェクトは、NeuroNEXT、クリーブランド・クリニック、米国多発性硬化症協会及びメディシノバの参加で行われるものです。米国立衛生研究所(NIH)の支部である国立神経疾患脳卒中研究所(NINDS)傘下の臨床治験ネットワーク・NeuroNEXTは、学会、民間財団及び医薬業界と提携して神経疾患治療を目的とする研究を行うために設立されました。NeuroNEXTの治験参加施設には、米国内の有数の医療施設が含まれています。

NeuroNEXTの目指すゴールには、フェーズ2臨床治験において有望な神経療法をテストすること、臨床治験に関して実績があるインフラを用いることで、神経疾患領域での医薬品の開発における時間/コストの最適化を図ること、及び、NINDSの持つ学術研究者または患者支援団体とのコネクションを活用して、官/民の開発努力の調整を図ることなどが含まれています。

本ネットワークにおける臨床治験コーディネーターはマサチューセッツ総合病院、データ管理センターはアイオワ大学が担当します。クリーブランド・クリニックのフォックス博士らは、NeuroNEXTネットワークに参加する大学病院の医師・研究者らと共同で研究を行います。また、米国多発性硬化症協会は、本治験の公示、患者への治験参加呼びかけなどの協力をします。当社は、MN-166についてFDAの神経医薬品部門からの治験許可(IND)を保持している他、MN-166に関する科学データ、分析面のサポート及び医薬品とプラセボの供給を行います。

進行型多発性硬化症について

米国多発性硬化症協会の統計によると、全世界に約230万人の多発性硬化症患者がいます。そのうち約85%の患者は最初の診断で再発寛解型と診断されます。しかしそのうちほとんどの患者が、時間の経過とともに、寛解期が無いかまたは非常にまれで、健康状態が徐々に悪化する二次進行型多発性硬化症へ進行します。さらに、約10%の患者は発病時に一次進行型と診断され、再発や寛解を経ることなく、歩行、視覚、知力など身体機能の障害症状が進行し続けます。これらの障害の進行については、二次進行型も同様です。多発性硬化症の現行の治療法は炎症反応に対処するものですが、神経変性または脳組織の修復に対する効果は限られています。以上のように神経保護作用を持つ薬剤に切実なニーズが存在することは明らかです。

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1989年から使用されています。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を阻害する働きを有しており、また、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います。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。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。