

2024年12月26日

各位

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

**全身性強皮症に伴う間質性肺疾患（SSc-ILD）に対する PAI-1 阻害薬 RS5614 の
第Ⅱ相医師主導治験における目標症例数登録達成のお知らせ**

当社が、国立大学法人東北大学、東京大学、大阪大学など合計 12 施設と実施している「全身性強皮症（Systemin sclerosis：SSc 指定難病 51）^{*1}に伴う間質性肺疾患（Interstitial lung disease; ILD）に対する PAI-1 阻害薬 RS5614 の第Ⅱ相医師主導治験」の登録患者数が目標症例数（50 例）に到達しましたのでお知らせいたします。今後被験者の投与期間（48 週間）を経て、本試験の評価、データ解析の結果を治験総括報告書に纏める予定です。

本プロジェクトは、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の令和 5 年度「難治性疾患実用化研究事業」に採択（研究代表機関は国立大学法人東北大学、当社は分担研究機関）され、2023 年 9 月より全身性強皮症患者の間質性肺疾患に対する PAI-1 阻害薬 RS5614 の安全性と有効性を確認するプラセボ対照二重盲検試験^{*2}を医師主導治験として実施しております。

SSc は、皮膚と内臓諸臓器の血管障害と線維化を特徴とする全身性の自己免疫疾患で難病に指定されています。SSc は「免疫異常」、「血管障害」、「線維化」を主要 3 病態として、臓器線維化による臨床症状として、レイノー症状^{*3}、皮膚硬化、間質性肺疾患（ILD）、強皮症腎クリーゼ^{*4}、心病変、肺動脈性肺高血圧症^{*5} など、さまざまな多臓器障害を生じ、他の自己免疫疾患に比してステロイドや免疫抑制薬の効果は限定的です。特に ILD は死因の 35% を占めており、また ILD が直接の死因とならない場合でも、高度な呼吸機能低下により生活の質（QOL）や日常の生活動作（ADL）の著しい低下を招きます。ILD に対しては、ステロイドや免疫抑制薬が第一選択薬とされていますが、その治療効果は限定的です。また、抗線維化薬^{*6}であるニンテダニブが承認されましたが、その効果は ILD の進行抑制作用に留まり改善作用は認められていません。そのため SSc-ILD の改善が得られる新規治療薬の開発が強く望まれております。

RS5614 は、非臨床試験において、炎症、血管障害、血栓、線維化（肺線維化を含む）を抑制することが確認されております。RS5614 を SSc-ILD の動物モデルに連日経口投与したところ、RS5614 は肺線維化を用量依存性に低下させ、その効果は既存治療薬であるニンテダニブより優れており、新規治療薬として期待されております。また RS5614 は肺傷害の治療薬として、2020 年から行われた新型コロナウイルスス肺傷害の第Ⅱ相医師主導治験におい

でも有効性が示唆され、安全性を確認しております。

なお、本件による 2025 年 3 月期業績への影響は現時点では特にありません。

以 上

*1 全身性強皮症 (SSc)

全身性強皮症 (SSc) は、皮膚や内臓が硬くなる変化 (硬化という。) を特徴とし、慢性に経過する自己免疫疾患です。難病に指定された疾患であり、日本では 2 万人以上の患者が確認されています。

*2 プラセボ対照二重盲検

対象患者を無作為に、治験薬 (今回は RS5614) を投与する群と対照薬 (今回は効果がないプラセボ) を投与する群に分け、医師も患者もどちらが投与されるかを知らない条件で、両群同時に薬を投与する臨床試験方法であり、医師が効果の期待される患者に対して治験薬を投与するなどの機会を減らし、効果があるはずといった先入観が評価に反映される可能性や、患者が知った場合もその処置への反応や評価に影響が生じることを避けるための試験方法です。

*3 レイノー症状

冷たいものに触れると手指が蒼白～紫色になる症状で、冬に多く見られ、初発症状として最も多いものです。

*4 強皮症腎クリーゼ

腎臓の血管に障害が起こり、その結果高血圧が生じるものです。急激な血圧上昇とともに、頭痛、吐き気が生じます。

*5 肺動脈性肺高血圧症

ヒトが生きるためには呼吸をして大気中の酸素を肺に取り込む必要がありますが、肺で呼吸するだけでは体の中に酸素は取り込めません。肺に取り込んだ酸素を、心臓に一度戻して、さらに全身に送る必要があります。心臓から肺に血液を送るための血管を肺動脈といいます。この肺動脈の血圧が異常に上昇するのが肺動脈性肺高血圧症です。肺動脈の圧力が上昇する理由は、肺の細い血管が異常に狭くなり、また硬くなるために、血液の流れが悪くなるからです。必要な酸素を体を送るためには、心臓から出る血液の量を一定以上に保つ必要があります。狭い細い血管の中に無理に血液を流すように心臓が努力するために、肺動脈の血圧が上昇します。肺動脈性肺高血圧症は難病に指定されています。

*6 抗線維化薬

その名の通り、組織の線維化を抑える薬です。線維化がおきていると判断される方や今後、線維化が進行することが予想される患者さんに処方されることがあります。抗線維化薬にはピルフェニドンとニンテダニブをいう 2 種類があります。