

2025年1月10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)

よくあるご質問と回答

日頃より、当社へのご関心をいただきありがとうございます。12月までに投資家様より頂戴した主なご質問とその回答について、下記のとおり開示いたします。なお、本開示は投資家様への情報発信の強化とフェアディスクロージャーを目的に開示するものです。

Q1. 米国 XPRIZE の応募者に記載があるが、XPRIZE のコンテストに応募していますか

A1. 米国 XPRIZE が行っているコンテストに応募しております。

XPRIZE はアメリカの非営利の民間財団であり、これまで世界初の民間による月面探査の賞金コンテストを行うなど、人類に利益を与える技術の開発や、世界が直面する課題の解決を目的とした賞金を懸けたコンテストを行ってきました。現在は2030年までに健康寿命を延ばすことができた研究に対して、総額1億ドルを支払うコンテストを実施しており、当社もそのコンテストに応募しております。

当社は、細胞老化を分子レベルで解明し、老化関連疾患を治療する医薬品の開発を目指しております。生物の細胞は、細胞老化と呼ばれる現象のために、無制限に増殖することはできません。この現象には、遺伝子のテロメア長の短縮、p53などの細胞老化因子が関与しています。老化した細胞は、p53に加えて、プラスミノージェンアクチベーターインヒビター (PAI)-1の発現が極めて高いことが分かっています。当社が開発した PAI-1 阻害薬を用いて PAI-1 を抑制することで、細胞老化の現象は阻害できることが明らかになりました (Oncotarget 2016、Cell Death and Disease 2022)。

細胞のみならず、老化した組織や個体 (マウス、ヒト) でも、PAI-1 の発現が高いことが報告されました。当社、東北大学と米国ノースウェスタン大学との共同研究において、老化モデルとして有名な klotho マウスでは、PAI-1 の発現や活性を遺伝子あるいはタンパクレベルで阻害することにより、老化の主症状を改善できました (Proc Natl Acad Sci USA. 2014)。

さらに、ノースウェスタン大学医学部との共同研究を推進し、PAI-1 は加齢 (老化) に影響を及ぼしていることを解明して参りました (Science Advances 2017)。米国に生活するアーミッシュの血液を検査し、PAI-1 遺伝子を欠損している者が多数存在していることを確認

し、これらの PAI-1 遺伝子欠損者が同遺伝子保有者比べて 10 年程度寿命が長いことを報告しました。このヒトでの疫学調査は、細胞やマウスでの実験結果とも一致しています。この事実は 2017 年 11 月 21 日のニューヨークタイムズの記事でも紹介されました。

また、加齢と共に、がん、血管（動脈硬化）、肺（肺気腫、慢性閉塞性肺疾患）、代謝（糖尿病、肥満）、腎臓（慢性腎臓病）、骨・関節（骨粗鬆症、変形性関節症）、脳（脳血管障害、アルツハイマー病・認知症）などの関連した様々な疾患が発症します。興味深いことに、これら疾患の臓器では PAI-1 の発現は極めて高く、当社の PAI-1 阻害薬を投与することで病態が改善できることが国内外の多くの大学との共同研究から明らかとなりました（下図に共同研究成績一覧を記載）。

< 図 PAI-1に関する共同研究成績一覧 >

疾患	文献	共同研究
がん（慢性骨髄性白血病）	<input type="checkbox"/> Blood 2012 <input type="checkbox"/> Stem Cells. 2014 <input type="checkbox"/> Blood. 2017 <input type="checkbox"/> Biochem ,Biophys Res Commun. 2019 <input type="checkbox"/> Haematologica 2021 <input type="checkbox"/> BBRC 2021 <input type="checkbox"/> Tohoku J Exp Med. 2022 <input type="checkbox"/> Cancer Med. 2023	<input type="checkbox"/> 東京大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東海大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東海大学、ノースウェスタン大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東海大学、東北大学、国立がんセンター中央病院 <input type="checkbox"/> 東海大学、ノースウェスタン大学、広島大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東海大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東北大学、東北大学病院、ART <input type="checkbox"/> 秋田大学、東海大学、東北大学、岩手医科大学
がん（悪性黒色腫）	<input type="checkbox"/> PLoS One. 2015 <input type="checkbox"/> Cancer Biol Ther. 2015	<input type="checkbox"/> 南カリフォルニア大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東北大学、山形大学
肺（肺気腫、慢性閉塞性肺疾患）	<input type="checkbox"/> Arterioscler Thromb Vasc Biol 2008 <input type="checkbox"/> Am J Respir Cell Mol Biol 2012 <input type="checkbox"/> Proc Natl Acad Sci USA. 2014 <input type="checkbox"/> PLoS One 2015 <input type="checkbox"/> Am J Physiol Lung Cell Mol Physiol 2016 <input type="checkbox"/> Am J Respir Cell Mol Bio 2020 <input type="checkbox"/> Environ Pollut 2021	<input type="checkbox"/> 東海大学、東京大学、筑波大学、ルーヴァンカトリック大学、東北大学 <input type="checkbox"/> アラバマ大学、カリフォルニア大学サンディエゴ校、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、シカゴ大学、東北大学 <input type="checkbox"/> アラバマ大学、東北大学 <input type="checkbox"/> アラバマ大学、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、東北大学
血管（動脈硬化）	<input type="checkbox"/> Circulation. 2013 <input type="checkbox"/> Oncotarget. 2016 <input type="checkbox"/> Science Advances. 2017	<input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、東北大学、サンフォードバンナム研究所 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、ニュージャージー医科大学、プリティッシュコロンビア大学、インディアナ血友病血栓症センター、東北大学
代謝（糖尿病、肥	<input type="checkbox"/> Br J Pharmacol 2016	<input type="checkbox"/> 梨花女子大学、全南大学、東北大学

満)	<input type="checkbox"/> Oncotarget 2017 <input type="checkbox"/> Hepatol Commun 2018 <input type="checkbox"/> Front Pharmacol 2020 <input type="checkbox"/> Mol Med Rep 2020 <input type="checkbox"/> Science Reports 2021 <input type="checkbox"/> Obesity 2021	<input type="checkbox"/> 梨花女子大学、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東北大学 <input type="checkbox"/> 奈良県立医科大学、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、オレゴン健康科学大学、ジェシーブラウン退役軍人メディカルセンター、東北大学 <input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、ジェシーブラウン退役軍人メディカルセンター、東北大学
骨・関節（骨粗鬆症、変形性関節症）	<input type="checkbox"/> FEBS Open Bio 2018 <input type="checkbox"/> BBRC 2021	<input type="checkbox"/> 東京医科歯科大学、延辺大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 東京医科歯科大学、東北大学、国立障害者リハビリテーションセンター
脳（アルツハイマー病等）	<input type="checkbox"/> PLoS One 2015 <input type="checkbox"/> J Alzheimers Dis 2018	<input type="checkbox"/> ノースウェスタン大学、セントルーク大学病院、東北大学 <input type="checkbox"/> アラバマ大学、東北大学
腎臓（慢性腎臓病）	<input type="checkbox"/> Arterioscler Thromb Vasc Biol. 2013 <input type="checkbox"/> PLoS One 2016	<input type="checkbox"/> 東京大学、南方医院、ノースウェスタン大学、ルーヴァンカトリック大学、東北大学 <input type="checkbox"/> 梨花女子大学、キム医院、東北大学

これからも人類の最大の課題である老化について、我々の化合物を用いて解決に挑んでまいります。

Q2.慢性骨髄性白血病（CML）の進捗について教えてください

A2. 現在第Ⅲ相医師主導治験を実施しており、2023年12月に患者登録が完了しております。この第Ⅲ相試験は、令和4年度にAMEDの「革新的がん医療実用化研究事業」に採択され（代表機関：国立大学法人東北大学、当社は分担機関）、今年が最終年度です（実施期間令和4年度～令和6年度、助成金額1億9千万円）。最終年度の評価の結果、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録も終了しており、2年の延長期間内に試験を完了する目処が立っているとの理由から、さらに助成期間の2年間延長がAMEDから承認されました。

なお、2025年3月期業績への影響はございませんが、2年間延長に伴う助成金が得られるために、2026年3月期及び2027年3月期に見込んでいた費用計上がなくなり収益が改善する見込みです。正式な助成金の金額が確定しましたらお知らせします。

以下、第Ⅲ相医師主導治験の概要を記載します。

治験デザイン	多施設共同二重盲検群間比較試験
症例数	目標症例数56例に対して57例の登録
主要評価項目	治験薬投与開始後のDMR（がんの原因遺伝子が検出されない状態）に到達した患者の96週間DMR継続率

治験実施施設	東北大学、秋田大学、東海大学、埼玉医科大学、東京医科大学、順天堂大学、千葉大学、日本大学、都立駒込病院、大阪公立大学、愛育病院、小倉記念病院の12施設
実施予定期間	2022年4月～2026年3月

Q3.悪性黒色腫（メラノーマ）の進捗について教えてください

A3. 本医薬品は、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。希少疾患用医薬品指定を受けたことにより、悪性黒色腫治療薬RS5614の薬価算定における市場性加算が加わり、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優遇措置が受けられます。

現在、2024年12月には東北大学病院における治験審査委員会（IRB）にて承認を取得しており、第Ⅲ相医師主導治験開始に向けて準備を進めております。

以下、第Ⅲ相医師主導治験の概要になります。

治験デザイン	多施設共同、二重盲検、2群プラセボ対照比較試験
症例数	124例
主要評価項目	全生存期間（Overall survival ;OS）
治験実施施設（予定）	東北大学病院、札幌医科大学附属病院、弘前大学医学部附属病院、自治医科大学附属さいたま医療センター、国立がん研究センター東病院、国立がん研究センター中央病院、がん研究会有明病院、新潟県立がんセンター新潟病院、静岡県立静岡がんセンター、名古屋市立大学病院、筑波大学附属病院、岐阜大学医学部附属病院、島根大学医学部附属病院、愛媛大学医学部附属病院、九州大学病院、九州がんセンター、熊本大学病院、鹿児島医療センターの18施設
実施予定期間	2025年2月～2029年7月