

2026年2月12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)

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)  
革新的がん医療実用化研究事業の追加助成のお知らせ

当社は、2022年3月に国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) 「革新的がん医療実用化研究事業 (代表機関：東北大学、当社は分担機関)」の支援を受けて第Ⅲ相試験 (医師主導治験) を実施しています。本試験は、2022年8月3日に開始され、2023年12月末に解析に必要な症例数を上回る57例が登録されました。2024年12月に実施されたAMED「革新的がん医療実用化研究事業」の最終年度評価の結果、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録が完了しているとの理由から、助成期間の延長が承認されました (2024年12月3日開示)。

この度、予定通り試験も順調に推移していることから、2027年3月期もAMED「革新的がん医療実用化研究事業」の助成を受けることが決定したので、お知らせさせていただきます。

**【AMED 助成事業】**

事業名：「革新的がん医療実用化研究事業」

領域名：3-2 革新的がん治療薬(医薬品)の開発・薬事承認を目指した医師主導治験

研究課題名：慢性骨髄性白血病におけるTKIとの長期併用時のTM5614 (RS5614)の安全性・有効性を検討する第Ⅲ相試験 (研究開発代表者：東北大学 教授 張替秀郎)

助成金額：36百万円 (間接経費含まず)

**【慢性骨髄性白血病の課題】**

血液がんの一種である慢性骨髄性白血病 (CML) は、血液細胞の基になる細胞 (造血幹細胞) の遺伝子に異常が起こり、がん化した白血病細胞 (CML細胞) が無制限に増殖することで発症します。

CMLに対する治療薬は、イマチニブなどの分子標的治療薬であるチロシンキナーゼ阻害薬 (TKI) が主流です。TKIの開発によりCML患者の生存率は大きく改善しました。しかし、TKIはCML細胞には作用しますが、「骨髄ニッチ」と呼ばれる骨髄内の部位に潜むCML細胞の元になる細胞 (CML幹細胞) には作用しないことから、TKIを休薬するとCML細胞に変化して再発します。そこで、CMLを治癒するためには長期にわたる高額なTKI治療の継続が必要であり、また、副作用も問題となっています。したがって、可能な限り早期にTKI服用を必要としない治癒に導くことが重要です。

最近、深い分子遺伝学的奏効 (deep molecular response、DMR：がんの原因遺伝子が検出されない状態)<sup>1)</sup> が一定期間継続しているCML患者では、TKIを中止しても再発がない状態 (無治療寛解維持) が得られることが明らかになりましたが、3年間という最短の治療期間で再発がない状態を目指すことのできる患者の割合は5-10%にしか過ぎません。再発がない状態を達成する条件として、DMR到達後少なくとも2年以上のDMRの維持が必要とされています。

当社プラスミノゲンアクチベーターインヒビター (PAI) -1阻害薬 (RS5614) はCML幹細胞に作用して、骨髄ニッチから遊離させます。遊離したCML幹細胞はTKIの作用を受けるために、骨髄ニッチのCML

幹細胞は消滅して、CML の根治をもたらすことが可能であることが明らかとなりました。実際に、CML モデルマウスに RS5614 と TKI を併用することで、TKI 単独投与に比べて骨髄に残る CML 幹細胞数が著明に減少し、生存率が大きく向上しました。

RS5614 は TKI との併用によって、早期に多くの CML 患者を完全治癒に導き、薬剤治療を不要にする新たな作用機序の安全な医薬品と期待されます。

### 【PAI-1 阻害薬の臨床試験】

#### 後期第 II 相試験

TKI と RS5614 を併用し、投与開始後 48 週における DMR の達成率は 33.3% (33 例中 11 例で DMR を達成) であり、TKI 単独でのヒストリカルコントロール (8-12%) に比べて有意に上昇していることを確認しました。特に、TKI 治療期間が 3 年以上 5 年以下の患者での累積 DMR 達成率は 50.0% に達しました。また、RS5614 の 1 年間の長期投与でも治療薬と因果関係のある重篤な有害事象は認められませんでした。これら試験結果は、科学誌『Cancer Medicine』に掲載されました。

#### 第 III 相試験

東北大学、東海大学、秋田大学等、12 の大学・医療機関と共同で慢性期 CML 患者を対象に TKI と RS5614 の併用効果を検証するプラセボ対照二重盲検<sup>2)</sup> の第 III 相医師主導試験を実施中です。2022 年 5 月に PMDA に試験計画届を提出し、多施設共同の第 III 相試験が開始されました。TKI 治療期間が 3 年以上 6 年未満の慢性期 CML 患者 60 例を対象とし、TKI 単独投与群よりも試験薬 RS5614 の併用群が無治療寛解維持の指標である 2 年間以上の DMR 維持率の有意な上昇の検証を行っています。

### 【業績への影響】

2027 年 3 月期通期業績予想には本件を織り込んで開示する予定です。

以 上

#### 1) DMR

がんの原因遺伝子が検出されない深い分子遺伝学的奏効 (deep molecular response、DMR) を言います。現在の慢性期 CML 治療では高額な TKI を生涯服用する必要がありますが、DMR を達成し、一定期間維持した一部の患者では、TKI を中止しても再発がないこと (無治療寛解維持) が近年明らかとなっています。これまでに既存 TKI で公表されている 1 年間 (48 週) の累積 DMR 達成率は 8-12% (ヒストリカルコントロール) です。

#### 2) 二重盲検

対象患者を無作為に、試験薬を投与する群と対照薬 (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す。医師が効果の期待される患者に対して被験薬を投与するなどの故意が生じるおそれや、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。