

各位

会社名 M e d i c i N o v a , I n c

代表者名 代表取締役社長兼 CEO 岩城 裕一

(コード番号：4875 東証スタンダード)

(ティッカーシンボル：MNOV NASDAQ グローバル)

問合せ先 取締役兼シニアバイスプレジデント 松田 和子
最高医学責任者（CMO）東京事務所代表

電話：03-5532-5912

E-Mail : infojapan@medicinova.com

MN-001（タイプルカスト）の2型糖尿病に起因する高中性脂肪血症及び脂肪肝疾患に関する
フェーズ2臨床試験（MN-001-NATG-202）のトップライン結果に関するお知らせ

～HDL コレステロール及びHDL 粒子濃度の有意な上昇、投与初期の血清中性脂肪の有意な低下、
体重の減少と肝脂肪量の改善を認める～

2026年9月28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) (以下「当社」といいます。) は、MN-001 (タイペルカスト) ^{*1} について、2 型糖尿病 (T2DM) に伴う高トリグリセリド血症及び非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD) ^{*2} を対象として評価するフェーズ 2 臨床試験 (MN-001-NATG-202) において、トップラインデータをお知らせいたします。

MN-001 群では、血清中性脂肪 (TG) の低下、血清 HDL コレステロール (HDL-C) 及び HDL 粒子濃度 (HDL-P) の有意な上昇が認められたほか、肝脂肪量と体重についても改善傾向が示されました。また、MN-001 は全般的に良好な安全性と忍容性を示しました。

本臨床試験は、多施設共同、無作為化、二重盲検、プラセボ対照試験です。計 40 名の患者さんが 1 : 1 の割合で無作為に割り付けられ、MN-001（タイペルカスト）500mg/日またはプラセボを 24 週間投与されました。

トップラインデータのハイライト

- 血清中性脂肪 (TG):

- ・4 週時点において、血清 TG の平均値はベースラインから MN-001 群で 54.7mg/dL (26.05%)、プラセボ群で 23.8mg/dL (11.54%) 低下した。

MN-001 群の平均低下量はプラセボ群を 30.96mg/dL 上回り、この差は統計学的に有意であった (p=0.015)。

- ・24 週時点において、血清 TG の平均値はベースラインから MN-001 群で 45.8mg/dL (21.78%)、プラセボ群で 14.4mg/dL (6.97%) 低下した。

MN-001 群の平均低下量は、プラセボ群を 31.4mg/dL 上回ったが、統計的には有意ではなかった (p=0.113)。

- 肝脂肪量：24 週時点において、FibroScan®で測定した肝脂肪量の指標である controlled

- attenuation parameter (CAP) スコアの平均値は、ベースラインから MN-001 群で 14.1dB/m (4.24%)、プラセボ群で 4.3dB/m (1.27%) 低下した。

MN-001 群の平均低下量はプラセボ群を 9.7dB/m 上回ったが、この差は統計学的には有意ではな

かった ($p=0.2438$)。

- **血清 HDL-コレステロール (HDL-C)** : 24 週時点において、HDL-C の平均値は MN-001 群で 3.3 mg/dL (8.39%) 上昇した一方、プラセボ群では 2.4mg/dL (6.23%) 低下した。
MN-001 群とプラセボ群との差は 5.7mg/dL で、統計学的に有意であった ($p=0.0048$)。
- **血清 HDL-コレステロール粒子濃度 (HDL-P)** : 24 週時点において、HDL-P の平均値は MN-001 群で 3.62 μ mol/L (11.80%) 上昇した一方、プラセボ群では 0.9 μ mol/L (3.00%) 低下した。
MN-001 群とプラセボ群との差は 4.52 μ mol/L で、統計学的に有意であった ($p=0.018$)。
- **体重** : 試験終了時の平均体重は、MN-001 群で 4.91lb (2.28%)、プラセボ群で 0.55lb (0.25%) 減少した。
MN-001 群の平均体重減少量は、プラセボ群を 4.36lb 上回ったが、統計的には有意ではなかった ($p=0.082$)。

安全性および忍容性

MN-001 は全般的に安全で、良好な忍容性を示しました。有害事象の大部分は軽度または中等度であり、本試験では治験薬との関連がある重篤な有害事象は報告されませんでした。

結果の臨床的意義

本試験では、4 週時点において、MN-001 群でプラセボ群と比べて血清 TG が統計学的に有意に低下しました。24 週時点でも、MN-001 群ではベースラインからの低下が継続して認められましたが、プラセボ群との差は統計学的に有意ではありませんでした。

MN-001 群では HDL-C 及び HDL-P が統計学的に有意に上昇し、肝脂肪量と体重についても改善傾向が示されました。

これらの探索的な結果を総合すると、MN-001 には脂質代謝、肝脂肪量、体重など、複数の代謝指標に有益な効果をもたらす可能性が示唆されました。血清 TG、HDL-C 及び HDL-P の変化は、作用機序を検討した非臨床の *in vitro* 試験ならびに過去の臨床試験 (MN-001-NATG-201) の結果とも整合しています。これらの結果は、今回の臨床所見と併せて、代謝性疾患及び心血管疾患を対象とした MN-001 のさらなる評価を進める根拠となるものです。

今後の方針

本試験は、40 例を対象とした概念実証 (POC) のための探索的試験でした。トップラインデータの速報的な検討から、今後、より大規模な試験で有効性を評価する必要があると考えています。引き続き試験データの詳細な解析を進めるとともに、適切な患者集団、評価項目、症例数など、次の臨床開発段階について検討していきます。

なお、本件が 2026 年 12 月期の当社連結業績に与える影響はありませんが、今後、開示すべき事項が生じた場合には、速やかにお知らせいたします。

以 上

*1 MN-001 (タイベルカスト) について

MN-001 は、複数のメカニズムを有する経口投与の新規低分子化合物です。主な作用メカニズムはロイコトリエン受容体拮抗作用、ホスフォジエステラーゼ (PDE、主に-3 および 4) の阻害作用、5-リボキシゲナーゼの阻害などで、これらの複数のメカニズムを通して 5-リボキシゲナーゼ (5-LO) 経路を介した炎症抑制効果や線維化予防効果が知られています。当社が過去に実施した臨床治験から、MN-001 が血中の中性脂肪 (トリグリセリド : TG) を減少させる事を見出しました。高中性脂肪症を呈する NASH (非アルコール性脂肪性肝炎) 又は NAFLD (非アルコール性脂肪性肝疾患) 患者を対象としたフェーズ 2 臨床治験では、中性脂肪以外の脂質プロファイルも改善しました。現在、当社は糖尿病性脂肪異常症による NAFLD を適応とする新薬として開発しております。当社は、北米 (米国、カナダ)、ヨーロッパ、東アジア (日本、中国、韓国) などにおいて、高中性脂肪血症、高コレステロール血症及び高リポタンパク血症などの脂質代謝異常疾

患をカバーする特許や NASH 及び NAFLD をカバーする特許、線維化疾患をカバーする特許を有しています。

*2 2 型糖尿病、脂質異常症、NAFLD について

2 型糖尿病は、インスリン抵抗性を特徴とする代謝性疾患であり、脂質異常症（高中性脂肪血症、高コレステロール血症などの血中脂質の異常）を引き起こす主要な原因の一つです。高中性脂肪血症（高トリグリセリド血症）は、肝臓での脂肪合成が亢進することで血中トリグリセリドが増加します。高コレステロール血症では、特に LDL コレステロールの増加や HDL コレステロールの低下が見られ、動脈硬化のリスクが高まります。これらの脂質異常は、糖尿病の進行や合併症（心血管疾患、脂肪肝など）を悪化させる要因となります。非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）は、2 型糖尿病に伴う脂質代謝異常の結果として発症することが多く、糖尿病の肝臓への影響を示す代表的な疾患です。

メディシノバについて

メディシノバ（MediciNova, Inc.）は、米国を拠点とする臨床開発ステージにあるバイオ医薬品開発企業です。炎症性疾患、神経変性疾患、癌などの様々な疾患領域において、開発後期ステージの広範なパイプラインを開発しています。主要な開発品である 2 つの化合物、MN-166（イブジラスト）と MN-001（タイペルカスト）は複数の作用機序を持つ低分子化合物です。動物モデルスタディで様々な効果が確認されているほか、これまでの臨床経験において高い安全性プロファイルを有しています。

MN-166（イブジラスト）は、現在、筋萎縮性側索硬化症（ALS）、頸椎症性脊椎症（DCM）で臨床第Ⅲ相（フェーズ 3）段階の治験が進められています。他にも膠芽腫（グリオブラストーマ）及び嗜好品依存症の治療薬候補品として臨床第Ⅱ相（フェーズ 2）段階にあります。

MN-001（タイペルカスト）は、糖尿病による脂質異常症・非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）を対象に、臨床第Ⅱ相（フェーズ 2）段階の治験が進められています。

当社は、欧米政府や公的機関からの研究資金助成を受け、多くの医師主導型臨床治験を実施してきた強固な実績を有しています。

当社詳細につきましては <https://medicinova.jp/> をご覧下さい。本社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 300、エグゼクティブ・スクエア 4275（電話 1-858-373-1500）です。

注意事項

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、製品開発およ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 2025 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。