

2026 年 9 月 29 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)

**慢性骨髄性白血病に対するチロシンキナーゼ阻害薬（TKI）併用 PAI-1 阻害薬 RS5614 の
第Ⅲ相試験における患者投与完了のお知らせ**

当社は、国立大学法人東北大学、東海大学、秋田大学など国内 12 の大学・医療機関と実施している「慢性期慢性骨髄性白血病（CML）¹⁾ に対するチロシンキナーゼ阻害薬（TKI）²⁾ 併用時の RS5614 の有効性を検証する第Ⅲ相医師主導治験」について、登録された全患者 57 名への投与が、2026 年 9 月 29 日に完了したことをお知らせいたします。今後、本試験の評価、データ解析の結果を治験総括報告書にまとめる予定です。

CML は、造血幹細胞の遺伝子変異により生じた BCR-ABL 遺伝子を有する CML 幹細胞を病因とする血液がんで、国内における新規発症は年間約 1,300 人（10 万人あたり 1 人）、総患者数は約 15,000 人規模と推定される希少疾患です。現在の標準治療はイマチニブなどのチロシンキナーゼ阻害薬（TKI）ですが、TKI は骨髄ニッチに潜み静止期にある CML 幹細胞には感受性が乏しく、多くの患者が TKI を生涯服用する必要があり、副作用や医療経済的な負担につながっています。一方、TKI を長期投与された一部の CML 患者では、深い分子遺伝学的奏効（Deep Molecular Response：DMR³⁾）を一定期間（少なくとも 2 年間）維持した場合に、TKI を中止しても再発しない無治療寛解（Treatment Free Remission：TFR）が得られることが近年の複数の前向き試験で明らかとなっています。しかし、既存の TKI 単独投与では、1 年間の累積 DMR 達成率は 8～12%（ヒストリカルコントロール）にとどまっています。

RS5614 は、当社が研究開発中の PAI-1⁴⁾ 阻害薬で、骨髄ニッチに潜在する CML 幹細胞を活動期に導いて分化を促進し、分化した CML 細胞を TKI で殺傷することにより CML 幹細胞そのものを枯渇させるという、既存治療とは異なる作用機序を有します。

本治療薬は、後期第Ⅱ相医師主導治験で、Proof-of-Concept（POC）取得（TKI に RS5614 を 48 週間併用投与し、累積 DMR 達成率 33.3%）し、TKI 単独投与での 1 年間の累積 DMR 達成率 8～12% を大幅に上回る有効性が確認されました。また、治験薬との因果関係が否定できない重篤な有害事象は認められませんでした。

本試験は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の令和 4 年度「革新的がん医療実用化研究事業」に採択され、2022 年 8 月 3 日に最初の被験者への投与を開始しました（2022 年 8 月 3 日開示）。2023 年 12 月末に症例登録を完了し、解析に必要な症例数を上回る 57 例が登録されております。その後、2024 年 12 月の AMED 最終年度評価の結

果、解析に必要な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（2024 年 12 月 3 日開示）、試験は予定通り順調に経過してまいりました。

本試験は、RS5614 の CML に対する薬事承認を得るための検証試験であり、本研究で有効性を検証できれば、CML 患者に対して新たな治療選択肢が提案できます。

【業績への影響】

本件による 2027 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) 慢性骨髄性白血病（CML）

造血幹細胞の遺伝子変異により生じた BCR-ABL 遺伝子を有する CML 幹細胞が原因となる血液がんです。国内における新規発症は年間約 1,300 人、総患者数は約 15,000 人規模と推定される希少疾患です。

2) チロシンキナーゼ阻害薬（TKI）

BCR-ABL 融合遺伝子がつくり出す異常なチロシンキナーゼ蛋白質の働きを阻害し、CML 細胞の増殖を抑えて細胞死に導く薬剤で、イマチニブ、ニロチニブ、ダサチニブ、ボスチニブなどがあります。TKI 治療により多くの患者で急性転化への進行を防げるようになりましたが、骨髄ニッチに潜む静止期の CML 幹細胞には効果が及びにくく、大半の患者は TKI を生涯にわたり服用し続ける必要があります。

3) DMR（Deep molecular response）と無治療寛解（TFR）

DMR とは、国際標準値（IS）で BCR-ABL^{IS} が 0.0032%以下となる、CML 遺伝子異常がほとんど検出されない深い分子遺伝学的奏効状態です。少なくとも 2 年間 DMR を維持した一部の CML 患者では、TKI を中止しても分子遺伝学的再発がない無治療寛解（TFR）が得られることが、複数の前向き試験で明らかとなっています。

4) PAI-1

プラスミノゲン活性化因子阻害因子-1（Plasminogen Activator Inhibitor-1）の略称で、血栓の溶解に関わる線溶系を抑制する因子です。血管内皮細胞のほか、近年は造血幹細胞の骨髄ニッチからの離脱や細胞分化にも関与することが明らかになっています。また、PAI-1 は老化細胞が分泌する炎症性因子群（Senescence-Associated Secretory Phenotype：SASP）の主要な構成因子の一つであり、組織の老化や加齢に伴う機能低下との関連が近年の研究で示されています。こうした知見を背景に、PAI-1 阻害薬は、がん領域に加え、老化細胞の除去（セノリシス）を介した抗加齢・長寿領域における応用も期待されています。