

2026 年 10 月 5 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)

**根治切除不能悪性黒色腫（メラノーマ）に対するニボルマブと
PAI-1 阻害薬 RS5614 併用の第Ⅲ相試験における症例登録完了のお知らせ**

当社は、国立大学法人東北大学病院など国内 18 医療機関と実施している「根治切除不能悪性黒色腫（メラノーマ）治療におけるニボルマブとの RS5614 併用の有効性・安全性を検証する第Ⅲ相ランダム化プラセボ対照二重盲検医師主導試験」について、登録患者数が124 症例となり、2026 年 10 月 5 日に登録を完了したことをお知らせいたします。今後、被験者の観察期間（最大 3 年間）を経て、主要評価項目の評価、データ解析の結果を治験総括報告書に取りまとめる予定です。

悪性黒色腫¹⁾は皮膚がんの中でも転移率が高くきわめて悪性度が高いとされ、罹患率は日本国内では 10 万人に 1.5～2 人、総患者数は約 5,000 人の希少疾患ですが、米国では 10 万人あたり 21.0 人、有病者数は 140 万人もいる皮膚がんです。

免疫チェックポイント阻害薬²⁾の抗 PD-1 抗体ニボルマブ³⁾の登場で、進行性悪性黒色腫（メラノーマ）の治療は大きく改善しました。さらに、抗 CTLA-4 抗体イピリムマブ⁴⁾が開発され、抗 PD-1 抗体単独での奏効率（2 割程度）を高める併用療法も実施されています。しかし、自己免疫疾患の重篤副作用のため単剤投与に比べて投与中止の発現頻度は 4 倍と高く、さらに高額医療費の課題もあるため、副作用が少なく、奏効率を上昇させる安価な併用薬が待ち望まれています。

本試験は、抗 PD-1 抗体無効性進行性悪性黒色腫患者を対象に、ニボルマブと PAI-1⁵⁾阻害薬 RS5614 の併用の有効性及び安全性を検証する第Ⅲ相ランダム化プラセボ対照二重盲検⁶⁾医師主導試験です。2025 年 2 月 18 日（2025 年 2 月 18 日付「悪性黒色腫治療薬の第Ⅲ相試験開始（患者投与開始）のお知らせ」開示）より試験を開始しており、2026 年 10 月 5 日に目標症例数である 124 例の登録が完了いたしました。

本治療薬は、第Ⅱ相医師主導試験での Proof-of-Concept (POC)⁷⁾取得（有効性の主要評価項目である奏効率 24.1%、疾患制御率 62.0%）を経て、2024 年 8 月 28 日付で厚生労働大臣より希少疾病用医薬品⁸⁾の指定を受けています（2024 年 9 月 2 日付「当社悪性黒色腫治療薬の希少疾患用医薬品指定に関するお知らせ」開示）。当社が開発する PAI-1 阻害薬 RS5614 は低分子医薬品であり、良好な安全性プロファイルを示しており、自宅でも服用可能な利便性の高い内服薬です。本試験は、RS5614 の悪性黒色腫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、抗 PD-1 抗体無効の根治切除不能悪性黒色腫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。

1) 悪性黒色腫

悪性黒色腫は皮膚がんの一種で、皮膚の色と関係するメラニン色素を産生するメラノサイトという皮膚の細胞が悪性化してできる腫瘍です。皮膚がんの中でも転移率が高くきわめて悪性度が高いとされています。悪性黒色腫患者の罹患率は本邦では 10 万人に 1.5～2 人と少ないですが、米国では 21.0 人、オーストラリアでは 33.6 人と、日本より高い罹患率です。悪性黒色腫は悪性度の高いがんです（5 年生存率は、がんの大きさが 4 mm を超えると 50%程度、所属リンパ節転移がある場合は 40%程度、遠隔転移がある場合は数%）。さらに、本邦における悪性黒色腫の進行の程度は米国と比べて 3 倍程度高いことが報告されています。これは、本邦の悪性黒色腫が遺伝的に欧米とは異なっているために治療薬が奏効しづらいためと考えられます。

2) 免疫チェックポイント阻害薬

免疫チェックポイント分子の作用を阻害する医薬品で、現在治療薬として用いられている薬剤はすべて免疫チェックポイント分子に直接結合しそれを阻害する抗体医薬です。

3) ニボルマブ

プログラム細胞死 1 (PD-1) という免疫チェックポイント分子を標的とする抗体医薬（ヒト型抗ヒト PD-1 モノクローナル抗体）で、免疫系の抑制解除による抗がん作用を狙った医薬品です。代表的な免疫チェックポイント阻害薬です。本邦における悪性黒色腫に対するニボルマブの奏効率は 22.2%であり、新たな併用療法の開発が望まれています。

4) イピリムマブ

細胞傷害性 T リンパ球抗原-4 (CTLA-4) という免疫チェックポイント分子を標的とする抗体医薬（ヒト型抗ヒト CTLA-4 モノクローナル抗体）で、ニボルマブとは異なる標的の免疫チェックポイント阻害薬です。ニボルマブ無効例に対して、ニボルマブとイピリムマブとの併用薬として保険適応が認められており、その奏効率は海外 21%、国内 13.5%と考えられます。しかし、ニボルマブ・イピリムマブ併用療法は、半数を超える患者に重篤な副作用が出現し、単剤投与に比べて投与中止となる重度の免疫関連副作用の発現頻度は 4 倍と高く、数か月に及ぶ入院やがんに対する治療の中断が必要となることが問題となっています。さらに、高額医療費の課題もあり、抗体とモダリティが異なる経口投与可能で、副作用が少なく、奏効率を上昇させ、安価な併用薬が待ち望まれています。

5) 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。

6) プラセボ対照二重盲検

対象患者を無作為に、試験薬（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試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。

7) Proof-of-Concept (POC)

想定した新薬候補物質の有効性を非臨床試験や臨床試験で確認することをいい、想定通りの結果が得られた場合は、POC を取得したといいます。

⁸⁾ 希少疾病用医薬品

主に、難病といわれるような、患者の数が少なく治療法も確立されていない病気のための医薬品です。対象患者数が5万人未満、難病などの重篤な疾病が対象、医療上の必要性が高い、代替する適切な医薬品や治療方法がない、既存の医薬品と比較して著しく高い有効性または安全性が期待される、開発の可能性が高いこと、といった指定基準があります。希少疾病用医薬品に指定されると、PMDAの優先的な審査（審査期間の短縮）、薬価算定における市場性加算、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。