

2026年4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)

全身性強皮症に伴う間質性肺疾患 (SSc-ILD) に対する  
PAI-1 阻害薬 RS5614 の第 II 相治験の結果 (速報) についてのお知らせ

当社は、国立大学法人東北大学、東京大学、大阪大学など合計 12 施設と「全身性強皮症 (Systemic sclerosis: SSc 指定難病 51) <sup>1)</sup>に伴う間質性肺疾患 (ILD) に対する PAI-1 阻害薬 RS5614 の第 II 相医師主導治験」を実施しましたが、その結果 (速報) が得られましたのでお知らせいたします。

全身性強皮症 (SSc) は、「免疫異常」「血管障害」「線維化 (組織が硬くなること)」の 3 つを主な病態とし、皮膚や内臓など全身の臓器に障害を引き起こす指定難病です。その中でも間質性肺疾患 (ILD) は、肺の組織が線維化して呼吸が困難になる重篤な臓器障害であり、SSc 患者の死因の約 35% を占めています。直接の死因に至らない場合でも、高度な呼吸機能の低下により QOL や ADL を著しく低下させるため、極めて重大な医療課題となっています。現在、SSc-ILD に対する第一選択薬としてステロイドや免疫抑制薬 (ミコフェノール酸モフェチル MMF<sup>2)</sup>) が使用されていますが、その治療効果は限定的です。また、近年承認された抗線維化薬<sup>3)</sup> (ニンテダニブ) も、病態の「進行を遅らせる (進行抑制)」効果にとどまっており、失われた機能を「改善」させる作用は認められていません。そのため、SSc-ILD の症状を改善できる新規治療薬の開発が強く望まれています。

本治験は 2023 年 10 月に開始し (2023 年 10 月 19 日開示)、2024 年 12 月 17 日に予定通り 50 例の患者登録を完了、2025 年 11 月 25 日 (2025 年 11 月 25 日開示) に全患者の投与を終了いたしました。今後は最終的なデータを治験総括報告書としてまとめる予定です。

**【第 II 相治験結果 (速報)】**

本治験の対象は、SSc 発症から 7 年以内で、12 か月以内に施行した高解像度 CT におい

てILDが確認され、かつ肺病変範囲が10%以上、%FVC<sup>4)</sup>が40%以上、%DLco<sup>5)</sup>が30%以上90%未満の患者としました。治験薬は120 mg/日で開始し、4週目に忍容性を確認した上で180 mg/日に増量し、合計48週間投与しました。主要評価項目は、前観察期と比較した48週時点の%FVCの変化量と設定しました。

## 有効性

主要評価項目である48週時点の%FVCの変化量については、RS5614群においてプラセボ群に対する有意な上乗せ効果は認められませんでした。一方、皮膚硬化の指標であるmRSS<sup>6)</sup>については、48週時点単独では明確な群間差を認めませんでした。治療経過全体を踏まえた追加解析において改善傾向が示唆されました。具体的には、FAS（最大の解析対象集団）<sup>7)</sup>を対象に0・12・24・36・48週のmRSSデータを用い、経時変化の非一様性を評価する目的でpiecewise linear mixed model<sup>8)</sup>による解析を実施した結果、群間差は全観察期間を通じて一様ではなく、中間期間に最も明瞭に認められ、12～36週区間における傾きの差として現れました（ $\beta = -0.049/\text{週}$ 、 $p = 0.057$ ）。

## 安全性

本治験において、治験薬は概ね忍容性が確認され、これまで知られていた副作用の傾向を大きく逸脱する事象は見られませんでした。重篤な事象としてRS5614群で脳出血が1例認められましたが、この患者には高血圧症の背景因子などがあり、治験薬との因果関係については慎重に評価を行っております。

なお、2027年3月期業績への影響は現時点ではありませんが、今後開示すべき事項が生じた場合には適時開示いたします。

以 上

### 1) 全身性強皮症（SSc）

皮膚や内臓が硬くなる変化（硬化）を特徴とし、慢性に経過する自己免疫疾患です。難病に指定されており、日本では2万人以上の患者が確認されています。

### 2) ミコフェノール酸モフェチル MMF

免疫の働きを抑える免疫抑制薬の一種で、本治験の対象患者様の基礎治療として使用されてきました。

### 3) 抗線維化薬

その名の通り、組織の線維化を抑える薬です。線維化がおきていると判断される方や今後、線維化が進行することが予想される患者に処方されることがあります。抗線維化薬に

はピルフェニドンとニンテダニブの2種類があります。

4) %FVC (努力肺活量比)

空気を最大限に吸い込んだ後、一気に勢いよく吐き出した時の肺活量です。主に拘束性換気障害(肺の膨らみが悪い状態)の診断に用いられ、80%以上が正常値とされています。

5) %DLco

肺胞から毛細血管へ酸素が移動する能力を測定する呼吸機能検査です。主に一酸化炭素(CO)を使用し、肺間質性疾患、肺気腫、肺血管疾患などを評価します。正常値は予測値の約80%以上であり、低下は肺胞膜の厚化や肺毛細血管床の減少を示唆します。

6) mRSS

皮膚の硬化の程度をスコア化して評価する指標です。

7) FAS (最大の解析集団)

全ランダム化症例から、試験治療を一度も受けていない、あるいは登録基準を満たしていない等の正当な理由で除外可能な症例を引いた集団。治療効果をできるだけ現実に近い形で評価するため、ランダム化によるバイアスを避けつつ、治療介入が不可能だった症例のみを除外します。

8) piecewise linear mixed model

区分線形混合モデル、時間の経過に伴うデータ(縦断データ)において、特定の時点(ノット/変化点)を境に、傾きが変化する傾向をモデル化する手法です。