

2026 年 9 月 25 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)

皮膚血管肉腫治療薬の希少疾病用医薬品指定に関するお知らせ

当社が開発する皮膚血管肉腫治療薬（RS5614）が、2026 年 9 月 25 日付で厚生労働大臣より「希少疾病用医薬品」¹⁾の指定を受けましたのでお知らせいたします。

皮膚血管肉腫は、血管内皮細胞²⁾ががん化した軟部腫瘍の一種で、5 年生存率が 10%以下という予後不良な極めて希少な皮膚がんです。日本国内の発症頻度は欧米と比べても高く（100 万人あたり 2.5 人）、近年増加傾向にあります。血管肉腫の治療は、アポトーシス³⁾誘導剤であるパクリタキセル⁴⁾が第 1 選択薬となっていますが、全生存期間中央値は 649 日と短く、化学療法と放射線療法を併用しても、大半の症例では長期的ながんの縮小あるいは消失を得ることは困難な状況です。2 次治療薬として使用されているパゾパニブ⁵⁾の血管肉腫に対する奏効率は 3 %（Cancer 2022）、エリブリン⁶⁾は一定の奏効率を示すものの 64%で重大な副作用が発現するなど、パクリタキセル無効後の有効な治療選択肢は乏しく、新たな治療薬の開発が急務となっています。

プラスミノゲンアクチベーターインヒビター 1（PAI-1）は血管内皮細胞から産生されるため、血管内皮細胞のがんである血管肉腫では特に強く発現しており、腫瘍の増殖、転移、腫瘍免疫、免疫治療に対する抵抗性などに深く関与していることが分かっています。PAI-1 を強く発現するがん細胞ではパクリタキセルによるアポトーシスが生じにくいことから、当社は、PAI-1 阻害薬である RS5614 をパクリタキセルと併用することで、パクリタキセルの血管肉腫に対する治療効果を増強できるとの仮説のもと、開発を進めてまいりました。

パクリタキセルが無効となった皮膚血管肉腫患者を対象に、東北大学病院など国内 7 つの大学・医療機関と共同で実施した第 II 相試験の結果から、パクリタキセルと RS5614 の併用投与により、奏効率 13.3%（95%信頼区間：1.7%～40.5%）、病勢制御率 86.7%、無増悪生存期間中央値 4.0 ヶ月、全生存期間中央値 20.8 ヶ月という有望な結果が得られ、本邦で前向き臨床試験として実施されたパゾパニブ（JCOG1605）の無増悪生存期間中央値 2.8 ヶ月及び全生存期間中央値 12.1 ヶ月を上回ることが明らかとなりました。安全性についても、Grade5 の有害事象及び治験薬との因果関係が認められる重篤な有害事象は発現せず、良好な忍容性が確認されています（2026 年 2 月 10 日適時開示）。なお、2026 年 9 月 7 日付で本試験の最終的な試験結果を纏め、治験総括報告書を確定しました。最終結果は上記の速報値と同一であることを確認しております。

当社は、第Ⅱ相試験の結果を踏まえ、皮膚血管肉腫を対象とする、薬事承認に向けた、第Ⅲ相試験の実施に向けて、現在 PMDA（独立行政法人医薬品医療機器総合機構）と協議を進めております。

今回、厚生労働大臣から「希少疾病用医薬品」指定を受けたことにより、皮膚血管肉腫治療薬 RS5614 の薬価算定における市場性加算が加わり、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。

なお、本件による 2027 年 3 月期の業績予想の変更はありませんが、今後開示すべき事項が生じた場合には速やかに開示いたします。

以上

1) 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。

2) 血管内皮細胞

血管の内腔を覆う細胞です。血管内皮細胞は血管の構成要素となるだけでなく、血液と組織が酸素や栄養素などの物質交換を行う場として働き、さらには様々な生理活性物質を産生して組織や臓器の機能を維持する働きがあります。

3) アポトーシス

不要になった細胞を除去するため、細胞自らがプログラムを作動して自殺する細胞死現象をいいます。

4) パクリタキセル

太平洋イチイの樹皮から抗がん作用が見いだされた化学療法剤（抗がん剤）で、現在は化学合成されています。細胞の分裂に関わる「微小管」に結合して、がん細胞の分裂をとめ、死滅させる（細胞死）と考えられています。

5) パゾパニブ

がん細胞への血流を抑えることで増殖を防ぐ「分子標的治療薬」の一種です。主に腎細胞がんや軟部肉腫の治療に用いられています。副作用発現率は 93.5% と高く、主な副作用は、下痢、高血圧、疲労感、悪心・嘔吐、肝機能障害、味覚異常などです。

6) エリブリン

海洋天然物をもとに開発された抗がん剤で、細胞が分裂する際に必要な細胞構成成分の一つである微小管に作用し、がん細胞の増殖を阻害し、死滅させます。骨髄抑制による感染症、倦怠感、手足の痺れなどの重篤な副作用があります。