

2023年2月2日

各位

科研製薬株式会社

「ART-001」第II相試験結果の発表について —International Conference on Vascular Anomalies 2023にて発表—

科研製薬株式会社（本社：東京都文京区、社長：堀内 裕之、以下「科研製薬」）は、連結子会社の ARTham Therapeutics 株式会社が開発を進めている「ART-001」の難治性脈管奇形を対象疾患とした国内第II相試験の結果が International Conference on Vascular Anomalies 2023（開催：ベルギー ブリュッセル、1月31日～2月3日）において発表されましたのでお知らせいたします。

本試験は、低流速型脈管奇形（静脈奇形、リンパ管奇形（リンパ管腫）、クリッペル・トレノネー症候群）の患者を対象とする多施設共同ランダム化二重盲検試験です。50 mg（17例）もしくは100 mg（18例）のART-001を1日1回、24週間経口投与された際の有効性及び安全性について検討することを目的に実施されました。発表された結果の要約は以下の通りです。

有効性（主要評価項目）

「24週間投与終了時点の標的病変の体積変化(MRI)に基づく奏効率¹⁾」は50 mg群で29.4%、100 mg群で33.3%でした。100 mg群の95%信頼区間の下限が事前に設定をした閾値²⁾を上回ったことから、主要評価項目を達成しました。

- 1) ベースラインと比較して標的病変の体積が20%以上減少した患者を奏功と定義
- 2) 前向き観察研究において静脈奇形及びクリッペル・トレノネー症候群の無治療患者が24週経過後に20%以上の病変体積の自然縮小を認めた患者割合を設定

有効性（副次的評価項目）

- 24週間投与終了時点の病変体積のベースラインからの変化率の平均値は50 mg群と100 mg群でそれぞれ-2.3%と-12.6%でした。
 - 疼痛スコア（VAS）の平均値はベースラインで50 mg群と100 mg群でそれぞれ29.4 mm、24.6 mm、24週投与終了時点でそれぞれ16.1 mm、12.4 mmでした。
 - 25歳以下のQOL（PedsQL³⁾）のトータルスコアの平均値はベースラインで50 mg群と100 mg群それぞれ84.52、86.50、24週投与終了時点でそれぞれ90.14、92.52でした。
- 3) PedsQL：健康関連QOLを測る尺度であり、最高のQOLスコアが100となる

安全性

いずれかの投与群で10%以上の頻度で認められた副作用は、悪心、口内炎、アラニンアミノトランスフェラーゼ増加、アスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ増加、尿中β2ミクログロブリン増加でした。死亡例及び治験薬と因果関係のある重篤な有害事象は認められませんでした。

なお、本件に関し、科研製薬の2023年3月期連結業績予想に与える影響はございません。

以上

(参考資料)

ART-001 について

2021年12月に科研製薬が買収した ARTham Therapeutics 株式会社の開発医薬品です。経口投与可能な PI3K α (ホスファチジルイノシトール 3-キナーゼ) 阻害薬で、強力かつ選択的に PI3K α を阻害し、in vitro あるいは in vivo の病態モデルにおいて「血管新生抑制作用」を示しました。対象疾患である難治性脈管奇形には効果的な治療薬が存在せず、アンメットメディカルニーズに応える医薬品として期待されています。

注意事項:

このニュースリリースに記載されている当社グループの事業に関する将来の見通し等の記述は、現時点で入手可能な情報から予測したものであり、今後の様々な要因により実際の結果とは異なる可能性があります。また、このニュースリリースに含まれている医薬品（開発中のものを含む）に関する記述は、宣伝、広告等や医学的アドバイスを目的としたものではありません。

【本件に関するお問合せ先】

科研製薬株式会社

総務部広報グループ

TEL : 03-5977-5002

E-mail : koho@kaken.co.jp