



2025 年 12 月 9 日

NANO MRNA 株式会社  
代表取締役社長 秋永 士朗  
(4571 東証グロース)  
問合せ先 IR担当 土屋 千映子  
電話番号 03-6432-4793

## **再発膠芽腫に対する新規核酸医薬「TUG1 ASO」 第 I 相試験の途中経過において安全性と有効性の兆しを確認**

当社と名古屋大学が共同で開発を進める核酸医薬「TUG1 ASO」について、名古屋大学大学院医学研究科 脳神経外科学 齋藤竜太教授により「再発膠芽腫を対象とした TUG1 を標的とした核酸治療薬の第 I 相試験（医師主導治験）」の途中経過が、第 43 回日本脳腫瘍学会学術集会にて発表されましたので、その概要についてお知らせいたします。

### **【発表のポイント】**

#### **アンメットメディカルニーズへの挑戦**

- TUG1 ASO は名古屋大学大学院医学系研究科の近藤豊教授らが見出した新規の治療メカニズムを持つ膠芽腫などの難治性がん治療核酸医薬候補。
- 当社 Science Founder である片岡一則先生が発明した DDS 技術「YBC ポリマー」は、近藤豊教授らと片岡先生の共同研究により脳腫瘍への核酸医薬デリバリーに有用であることが発見され、本核酸治療薬に応用。
- 再発膠芽腫は治療選択肢が極めて限られる疾患で、世界的に新規治療薬の開発が急務。

#### **安全性と有効性の兆しを確認**

- 投与した 13 例中、約半数で腫瘍の成長抑制を確認。
- 通常 3 – 4 か月程度と言われている無増悪生存期間（PFS）が一例の患者で 10 カ月となり、腫瘍が縮小している可能性を示唆。

本医師主導治験は、AMED の革新的がん医療実用化研究事業「新規核酸治療薬を用いた膠芽腫に対する臨床試験に関する研究」および臨床研究・治験推進研究事業「膠芽腫に対する新規核酸治療薬の開発」の支援を受け、齋藤竜太教授を治験責任医師として名古屋大学医学部附属病院、国立がん研究センター中央病院、京都大学医学部附属病院において実施されています。

#### **2026 年度国際学会で全試験結果報告**

- 最終投与量までの投与を完了し、患者登録は 2025 年 10 月に終了。
- 全試験結果は 2026 年度の国際学会（AACR）で報告予定。

今回の発表は、名古屋大学との共同による産学連携から見出された「TUG1 ASO」の価値を大きく高めるものです。今後、2026 年度の国際学会での詳細結果報告を経て、本品のライセンス活動を加速してまいります。



#### <ご参考> 試験結果概要

対象：再発膠芽腫患者

評価項目：安全性、薬物動態、有効性

登録患者：投与 Level 1～Level 3 で 13 例

##### 安全性

- Level 3 で 1 例に Grade 3 高尿酸血症を確認し、用量制限毒性（DLT）と判定  
他の 5 例では DLT なし → Level 4 への増量が可能と判断
- その他の Grade 3 有害事象（白血球減少、好中球減少、脂質異常）は一過性で DLT には至らず

##### 薬物動態

- 曝露量は投与量増加に伴い上昇し、Level 3 で非線形領域に達している可能性あり

##### 有効性

- 13 例中：PD（進行）7 例、SD（安定）6 例
- Level 2 の SD 症例のうち 1 例で Unconfirmed PR を確認し、無増悪生存期間（PFS）10 カ月を達成

以上