

2025 年 11 月 10 日

各 位

会 社 名 科 研 製 薬 株 式 会 社
代 表 者 名 代 表 取 締 役 社 長 堀 内 裕 之
(コード番号 4521 東証プライム市場)
問 合 せ 先 広 報 IR 部 亀 津 学
(TEL. 03-5977-5002)

「KP-001」の国内第Ⅲ相検証的試験結果のお知らせ

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、現在、開発を進めている「KP-001」（一般名：serabelisib、以下「本剤」）の難治性脈管奇形を対象疾患とした国内第Ⅲ相検証的試験の結果が得られましたので、お知らせいたします。

本剤の国内第Ⅲ相検証的試験は、難治性脈管奇形（静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群）の患者さんを対象とした非盲検、非対照、多施設共同試験です。KP-001 は主要評価項目である投与 24 週後以降の最終評価時点の MRI 画像に基づく標的病変の奏効率（投与前と比較して標的病変の体積が 20%以上減少した被験者の割合）が無治療患者の自然歴を基に事前に設定した奏効率に対して統計学的に有意に高い結果となりました。また、安全性に関しても開発上の問題となる副作用は認められませんでした。本試験の詳細な結果は、今後の学会等で公表する予定です。

今後は、現在実施中の国内第Ⅲ相長期投与試験の結果を踏まえ、2026 年度の製造販売承認申請を目指してまいります。

以上

（参照）

- ・ 2022 年 12 月 21 日公表 開発医薬品「ART-001」の第Ⅱ相試験の結果について
<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2216935/00.pdf>
- ・ 2023 年 2 月 3 日公表 「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—
<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2229248/00.pdf>
- ・ 2023 年 4 月 12 日公表 「ART-001」第Ⅱ相試験に関するマイルストーン達成のお知らせ
<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2261116/00.pdf>
- ・ 2023 年 5 月 31 日公表 「ART-001」第Ⅲ相試験の開始に関するマイルストーン達成のお知らせ
<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2290971/00.pdf>

※「ART-001」は、「KP-001」の旧開発コードです。

(参考資料)

・ KP-001 について

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 α) 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。対象疾患である脈管奇形には既存の治療薬の種類が限られており、新しい治療選択肢が求められていることから、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。

・ 脈管奇形について

脈管奇形は、血管やリンパ管といった脈管の形態異常により、疼痛、潰瘍、患肢の成長異常、機能障害、整容上の問題等をきたす疾患の総称です。形態異常をおこす脈管の種類によって静脈奇形、リンパ管奇形、毛細血管奇形、動静脈奇形等やそれらの混合型が存在します。発生する場所や大きさ、症状によっては治療が長期に渡る場合もあります。よい治療法がなく、治りにくい状態を難治性と呼ばれています*1。

*1 : 難治性血管腫・血管奇形薬物療法研究班 情報サイト (<https://cure-vas.jp/>)

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。