

2026年5月15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 I R 部長 亀津 学  
(TEL. 03-5977-5002)

## 脈管奇形治療剤「KP-001」の製造販売承認申請について

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、脈管奇形治療剤「KP-001」（一般名：セラベリシブリン酸塩水和物、以下「本剤」）の製造販売承認申請を行いましたので、お知らせいたします。

本剤は、PI3K $\alpha$ （ホスファチジルイノシトール 3-キナーゼ  $\alpha$ ）を選択的に阻害する低分子化合物であり、異常な PI3K シグナル伝達の制御を目的として開発した薬剤です。難治性脈管奇形を対象に国内で実施された第 III 相検証的試験及び進行中の第 III 相長期投与試験において、現時点までに良好な有効性と安全性が確認されています。

難治性脈管奇形は既存の治療選択肢が極めて限られており、患者さんのアンメットメディカルニーズが大きい疾患領域です。本剤は 2026 年 3 月 19 日に厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けています。

科研製薬は、本剤を必要とする患者さんへお届けすることで、難治性脈管奇形の治療に貢献できるものと考えています。

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 2 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>

・2025年11月10日公表

「KP-001」の国内第III相検証的試験結果のお知らせ

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2712143/00.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 $\alpha$  (ホスファチジルイノシトール 3-キナーゼ  $\alpha$ ) 阻害薬で、強力かつ選択的にPI3K $\alpha$ 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。また、これらの疾患に加えて、骨・軟部組織の過成長、皮膚所見、内臓病変等の全身性異常を伴う脈管奇形関連症候群があります。

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。