

2026 年 7 月 17 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)

「KP-001」国内第 III 相検証的試験結果について —第 22 回日本血管腫血管奇形学会学術集会にて発表—

科研製薬株式会社（本社：東京都文京区、代表取締役社長：堀内 裕之、以下「科研製薬」）は、製造販売承認申請中の「KP-001」（一般名：セラベリシブリン酸塩水和物）について、国内第 III 相検証的試験の結果が第 22 回日本血管腫血管奇形学会学術集会（2026 年 7 月 16～17 日、岩手県盛岡市）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、難治性の脈管奇形（静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群）の患者を対象とした非盲検、非対照、多施設共同試験です。36 名に KP-001（100 mg、体重 40 kg 未満の患者は体表面積 1m²あたり 60 mg）を 1 日 1 回、24 週間以上 52 週間まで経口投与したときの有効性を検証し、安全性を検討しました。

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¹⁾は 30.6%（11/36 名）であり、事前に設定した帰無仮説の奏効率 6.7%²⁾に対して統計学的に有意に高かった（ $p < 0.001$ 、正確検定）。
 - ¹⁾ 治験薬投与前と比較して標的病変の体積が 20%以上減少（奏効と定義）した患者割合
 - ²⁾ 静脈奇形及びクリッペル・トレノネー症候群を対象とした前向き観察研究において、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
- 疾患別の奏効率は、静脈奇形で 19.0%（4/21 名）、リンパ管奇形で 33.3%（1/3 名）、クリッペル・トレノネー症候群で 50.0%（6/12 名）であった。
- 体重別の奏効率は、40 kg 未満の集団で 28.6%（4/14 名）、40 kg 以上の集団で 31.8%（7/22 名）であり、体表面積に基づき用量調整した集団としていない集団で奏効率はおおむね同程度であった。
- 疼痛スコア（VAS、0～100 mm）の治験薬投与前からの変化量の平均値±標準偏差は、治験薬投与前の VAS が 10 mm 以上の部分集団では、投与 4、12、24、36、52 週後において $-10.7 \pm 13.34 \sim -4.4 \pm 12.59$ mm の範囲で推移した。全体集団では明確な改善傾向はみられなかったが、一定の疼痛を有する集団では改善傾向がみられた。

安全性

- 重症度別の副作用（治験薬との因果関係ありの有害事象）の発現割合は、有害事象共

通用語規準の Grade 1 が 13.9% (5/36 名)、Grade 2 が 16.7% (6/36 名)、Grade 3 が 16.7% (6/36 名)、Grade 4 が 5.6% (2/36 名) であった。Grade 3 以上の副作用は肝機能検査異常 (2 名)、肝機能検査値上昇 (2 名)、肝酵素上昇、薬剤性肝障害、多形紅斑、血中クレアチンホスホキナーゼ増加、好中球数減少は各 1 名であった。

- 発現割合が 10%以上の副作用は、高インスリン血症 13.9%(5/36 名)、悪心 11.1%(4/36 名) 及び肝機能検査異常 11.1% (4/36 名) であった。高インスリン血症及び悪心の重症度はほとんどが Grade 1 であり、発現したすべての被験者において、治験薬の減量、休薬又は投与中止することはなかった。肝機能検査異常の重症度は Grade 1～Grade 3 であり、2 名が休薬、1 名が投与を中止した。
- KP-001 の作用機序に関連する安全性リスクとして高血糖を想定していたが、血糖及び HbA1c の結果から、本治験で高血糖リスクは顕在化しなかった。
- 免疫抑制作用に由来すると考えられる副作用の発現は限定的であったことから、免疫抑制作用が生じにくいと考えられた。

結論

- 本治験において、KP-001 は難治性の静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群の患者に有効性を示した。肝機能検査異常は KP-001 のリスクとして認められたが、可逆的な事象であり、KP-001 投与中の臨床検査モニタリングにより管理可能と考えられた。

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>

・ 2026 年 5 月 15 日公表

脈管奇形治療剤「KP-001」の製造販売承認申請について

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4521/tdnet/2815607/00.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。

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。