

2026年4月21日

NANOホールディングス株式会社
代表取締役会長兼社長 CEO 松村 淳
(コード：4571 東証グロース市場)
問合せ先 IR担当：土屋 千映子
TEL：03-6432-0020
URL：<https://www.nano-hd.com>

NANO MRNA 開発パイプライン
再発膠芽腫に対する新規核酸医薬「TUG1 ASO」
AACR 2026 における第 I 相試験結果発表に関するお知らせ

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、AACR 2026 において「再発膠芽腫を対象とした TUG1 を標的とする核酸治療薬の第 I 相試験（医師主導治験）」が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。

なお、本発表は、2025年12月9日付でお知らせした第 I 相試験の途中経過に、その後得られた追加情報を加えたものです。

【発表のポイント】

第 I 相試験の増量コホートが完了

- ・ Dose Level 4 において 2 例での投与が実施され、2 例とも用量制限毒性（Dose Limiting Toxicity、DLT）が発現することを確認し、Phase I 試験が完了。
- ・ この結果、最大耐用量は Dose Level 3 の用量に決定され、今後更に詳細な検討を進める方針。

薬物動態データを初めて開示

- ・ TUG1ASO 投与後の薬物動態は、投与量の増加に伴って薬剤曝露が増加した。Dose Level 3 以上において薬剤曝露が非線形となることが確認され、今後の至適用量を検討する上での重要な結果が得られた。

有効性に関する評価は前回公表時点から大きな変更なし

- ・ 既報の通り、Dose Level 2 で 1 例の長期 Stable Disease（SD、病勢安定）および unconfirmed Partial Response（uPR、未確認部分奏効）が確認されており、効果の兆しを確認。

Phase Ib 試験に向けた準備が進展

- ・ 今回の試験結果を踏まえて、投与量およびスケジュールを再検討する Phase Ib 試験の試験実施計画書の内容について医師主導治験チームとほぼ合意に達しており、8 月を目途に治験届を PMDA に提出予定。

以上