



MediciNova, Inc.

(JASDAQ : 4875 / NASDAQ : MNOV)

2019年12月期 決算説明会

岩城 裕一

代表取締役社長 兼 CEO

松田 和子

取締役 兼 CMO (東京事務所代表副社長)



MNOV
NASDAQ
LISTED

2020年2月19日

本資料には、1995年米国民事証券訴訟改革法に規定する「将来の見通しに関する記述」が含まれている可能性があります。

これらの記述には、当社の製品候補の期待される進捗、ライセンスの可能性、提携プランなどに関する記述が含まれます。

これらの記述は、当社の経営陣がその時点の状況下において合理的であると判断して立てた前提に基づくものです。

このような記述は、臨床試験の結果、見込み提携先の市場利益、当社が米国証券取引委員会に提出した届出書に記載されているものも含めたその他のリスク、不確定要素など、その多くは当社のコントロールが及ばないいくつかの前提、リスク、不確定要素の影響を受けるものです。

実際の当社の業績は、「将来の見通しに関する記述」に示唆されるものと大きく異なることがあります。

会社理念

十分な治療がまだ確立していない疾病を患う世界中の患者さんに、よりよい治療を提供することにより社会に貢献すること。

基本経営方針

理念を具現すべく、こうした疾病の問題を改善する医薬品の導入、開発、販売を手がけるグローバルな製薬企業を目指すこと。

1	東証JASDAQ市場での上場に関するご説明	4
2	2019年12月期 通期決算概況	7
3	2019年 研究開発概要・主要プログラムの開発状況	12
4	学会発表補足	27
5	今後の開発プラン	39
6	Appendix	42

1 東証JASDAQ市場での上場に関するご説明

上場子会社のガバナンスの向上等に関する上場制度の整備に係る 有価証券上場規程等の一部改正について

2020年2月5日
株式会社東京証券取引所

I 改正趣旨

当取引所は、有価証券上場規程等の一部改正を行い、**本年2月7日から施行します**（詳細については規則改正新旧対照表をご覧ください。）。

今回の改正は、上場子会社における独立した意思決定を確保し、少数株主の利益を保護するために、独立役員の独立性基準を見直すとともに、上場子会社を有する場合におけるグループ経営の考え方及び方針を踏まえた上場子会社を有する意義及び上場子会社のガバナンス体制の実効性確保に関する方策の開示の充実を図るものです。

あわせて、マザーズ及び**JASDAQにおける上場廃止基準の見直し**や、一部指定及び市場変更等に係る取扱いの見直しなど、所要の制度整備を行います。

2. マザーズ及びJASDAQにおける上場廃止基準の見直し

- (1) マザーズ上場会社の売上高に関する上場廃止基準の見直し
- 最近1年間の売上高が1億円未満となった場合において、「新規上場から10年を経過した場合の市場選択時におけるマザーズへの継続上場に係る要件」に適合しているときには上場を維持するものとします。
- (2) JASDAQ上場会社の業績等に関する上場廃止基準の見直し
- 業績又は利益計上に関する上場廃止基準に抵触した場合であっても、新規上場審査基準に準じた基準に適合しているときには上場を維持するものとします。

Ⅲ 施行日

- 本年2月7日から施行します。
- 1. (1)に関しては、2020年3月31日以後に終了する事業年度に係る定時株主総会の日翌日から適用します。
- 1. (2)に関しては、2020年3月31日以後に終了する事業年度に係る定時株主総会後に提出するコーポレート・ガバナンスに関する報告書から適用します。
- 2. (1)に関しては、施行日から1年を経過する日より前に直前事業年度の決算の内容を開示する会社は、施行日から1年を経過する日まで書面の提出期限を延長することとします。
- 2. (2)に関しては、施行日から1年を経過する日より前に最近4事業年度に係る営業利益及び営業キャッシュフローが負となった場合等の翌事業年度が開始する会社は、当該基準中「1年以内」とあるのは「2年以内」と読み替えることとします。
- 3. (1)に関しては、施行日以後に一部指定又は市場変更に係る承認を受けた会社から適用します。
- 3. (4)に関しては、施行日以後に行われた行為によって、上場契約違約金を徴求する場合から適用します。

以上

2 2019年12月期 通期決算概況

2019年12月期 通期決算業績

		2019年12月期 (当期)	2018年12月期 (前期)	前期比 (%)
売上高 (営業収益)	千米ドル	-	-	-
	百万円	-	-	
営業損失	千米ドル	14,031	15,587	10%減少
	百万円	1,530	1,699	
純損失	千米ドル	12,941	14,675	11.8%減少
	百万円	1,411	1,600	

営業収益：0千米ドル

〈前期比：±0百万米ドル〉

営業損失：14,031千米ドル

〈前期比：1.56百万米ドル（約1.7億円）減少〉

純損失：12,941千米ドル

〈前期比：2.0百万米ドル（約2.18億円）減少〉

結果：

業績目標に対する達成度に基づく発行済みストック・オプションの会計上の評価額が前期に比べて低かったため、費用計上額が減少したこと。

為替レートは2020年1月31日の三菱UFJ銀行のTTM1ドル=109.06円を使用

貸借対照表（要約）

– Consolidated Balance Sheets –



単位：千米ドル

	2019年12月末	2018年12月末	増減
現金及び現金同等物	63,793	62,313	+1,480
前払費用及びその他の流動資産	512	445	+67
のれん	9,600	9,600	–
仕掛研究開発費	4,800	4,800	–
有形固定資産（純額）	40	54	△14
その他の長期資産	460	11	+449
資産合計	79,205	77,223	+1,982
買掛債務	451	617	△166
未払債務及びその他の流動負債	1,777	1,575	+202
長期繰延収益	1,694	1,694	–
繰延税金負債	202	202	–
その他の長期負債	186	27	+159
負債合計	4,310	4,115	+195
普通株式(額面0.001米ドル)	44	42	+2
払込剰余金	444,017	429,290	+14,727
その他の包括損失累計額	△93	△93	–
累積欠損	△369,073	△356,131	+12,942
株主資本合計	74,895	73,108	+1,787
負債及び株主資本合計	79,205	77,223	+1,982

損益計算書（要約）

– Income Statements –



単位：千米ドル

	2019年12月期 (当期)	2018年12月期 (前期)	増減
売上高	–	–	–
営業費用			
研究開発費	6,079	5,626	+453
一般管理費	7,952	9,961	△2,009
営業費用合計	14,031	15,587	△1,094
営業損失	14,031	15,587	△1,094
その他費用(△)	△46	△23	△23
受取利息	1,148	940	+208
法人所得税収益	△13	△5	+8
当期純損失	12,942	14,675	△1,733
四半期純損失の計算に使用した株式数	43,159	41,125	
基本及び希薄化後 1 株当たり純損失	△0.30	△0.36	

研究開発費：3.1百万米ドル
 〈前期比：0.5百万米ドル 増加〉

業績目標に対する達成度に基づく（研究開発にかかわる）役職員への株式報酬の費用が減少した一方で、MN-166（イブジラスト）の臨床治験に係わる費用が増加したこと。

一般管理費：8.0百万米ドル
 〈前期比：2.0百万米ドル 増加〉

業績目標に対する達成度に基づく（一般管理業務にかかわる）役職員への株式報酬の費用及び他の一般営業費用が減少したこと。

キャッシュ・フロー計算書（要約）

– Statements of Cash Flows –



単位：千米ドル

	2019年12月期 (当期)	2018年12月期 (前期)
営業活動によるキャッシュ・フロー	△9,125	△9,114
投資活動によるキャッシュ・フロー	△11	626
財務活動によるキャッシュ・フロー	10,616	42,809
現金に係る換算差額	–	1
現金及び現金同等物の増減額	1,480	34,322
現金及び現金同等物の期首残高（1月1日時点）	62,313	27,992
現金及び現金同等物の期末残高（12月31日時点）	63,793	62,313

現金等の期末残高：約63.8百万米ドル
 〈前期比：1.48百万米ドル 増加〉

2020年末までの事業運営資金を十分にカバー

3 2019年 研究開発概要 主要プログラムの開発状況

MN-001

- 3月 東京慈恵会医科大学との共同研究開始
- 7月 国立循環器病研究センターとの共同研究開始

神経膠芽腫（グリオブラストーマ、Glioblastoma）

- 1月 再発性グリオブラストーマを対象とした治験開始 ダナ・ファーマー癌研究所

変性性頸椎脊椎症（DCM）

- 5月 DCMを対象としたフェーズ3臨床治験キックオフ meeting ケンブリッジ大学

MN-166

筋萎縮性側索硬化症（ALS）

- 4月 ALS2301フェーズ 2 b/3臨床治験プロトコルのFDA審査終了
- 9月 ALS2301 スタディ プロトコール改訂

進行型多発性硬化症（Progressive MS）

- 4月 SPRINT-MS臨床治験サブグループ解析発表
- 5月 AANにてSPRINT-MS治験での更なるデータ発表
- 7月 進行型多発性硬化症を適応とするフェーズ3臨床治験計画決定

MN-001

- 1月 “線維症・線維化疾患”を適応とする特許（日本）
- 4月 高中性脂肪血症、高コレステロール血症及び高リポタンパク血症を適応とする特許（中国）
- 10月 特発性肺線維症（IPF）を適応とする特許（中国）
- 10月 特発性肺線維症（IPF）を適応とする特許（日本）
- 10月 NASH/NAFLDを適応とする特許（日本）

MN-166

- 1月 リルゾールとの併用療法で神経変性疾病を適応とする特許（米国）
- 4月 併用療法でのグリオブラストーマ（神経膠芽腫）を適応とする特許（米国）
- 10月 ALS（筋萎縮性側索硬化症）を適応とする特許（カナダ）

論文

3月 「Ibudilast sensitizes glioblastoma to temozolomide by targeting Macrophage Migration Inhibitory Factor (MIF)」 **Scientific Report**誌に掲載

学会発表

第71回アメリカ神経学会年次総会（2019年5月 米国フィラデルフィア）

- 「Response to Treatment According to Progressive Disease Type: Analysis from a Phase II Progressive MS Trial of Ibudilast」
- 「Effect of Ibudilast on Macular Measures in Progressive MS: OCT Analysis from a Phase II Trial」（ポスター）
- 「Effect of Ibudilast on Neurofilament-Light Chain in Progressive MS: Analysis from a Phase II Trial」（ポスター）

第30回ALS/MND国際シンポジウム（2019年12月 オーストラリア パース）

- 「Open Label Trial of MN-166 in ALS – A biomarker endpoint-based clinical trial」
- 「Interaction (nonuniformity) of ALS progression and Efficacy of MN-166」（ポスター）



COMBAT-ALS Study (ALS-2301)



A PHASE 2B/3, MULTI-CENTER, RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, PLACEBO-**CO**NTROLLED, 12 MONTH CLINICAL TRIAL TO EVALUATE THE EFFICACY AND SAFETY OF **M**N-166 (**I**BUDIL**A**ST) FOLLOWED BY AN OPEN-LABEL EXTENSION IN SUBJECTS WITH **A**MYOTROPHIC **L**ATERAL **S**CLEROSIS

臨床治験概要	
デザイン	<p>対象疾患： ALS（発症部位による治験参加の制限なし）</p> <p>プラセボ対照・無作為二重盲検 / オープンレーベル エクステンション 多施設、北米、ヨーロッパ 期間：12カ月の二重盲検比較期間 + 6カ月の非盲検 投与：MN-166（～100mg/日）またはプラセボ</p>
目的	<p>【主要評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ALSFRS-Rの変化 <p>【副次的評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ALSAQ-5（主観的QoL） ・ HHD（筋力テスト） ・ Survival（死亡、人工呼吸器依存または気管切開までの時間） ・ 安全性及び認容性
現況	北米の複数サイトがオープン


COMBAT-ALS進捗-主要イベント

2019年3月	ALS2301 治験プロトコルを FDAに提出	治療期間：9か月 予定患者数：～150人 治験実施地域：アメリカ
2019年4月	ALS2301 プロトコル FDAレビュー完了	
2019年5月	MTP社が Edaravon のEMAへの申請取り下げ	EMAからの要請を受けて申請取り下げ
2019年6月	欧州圏内での治験実施を検討、ポテンシャルな治験サイトのリサーチ	
2019年7月	EMAのガイドラインに合わせてプロトコル改訂	治療期間：12か月 予定患者数：～230人 生存 治験実施地域：北米、欧州 Adaptive Design
2019年8月	改訂プロトコルをFDAへ提出	
2019年9月	改訂プロトコルのFDAレビュー完了	
2019年9月	FDA “Guidance for Industry “ALS Developing Drugs for Treatment” リリース	1年以上の安全性データが必要 臨床効果は6－12か月の治験期間 Adaptive Designの推奨
2019年10月	欧州地域担当CROを決定	
2019年11月	カナダ当局への治験申請	
2019年12月	カナダ当局からの治験許可	



② 化学療法誘発性末梢神経障害 フェーズ2 臨床治験

臨床治験概要		パートナー
デザイン	対象疾患：転移性消化器癌（大腸・直腸・結腸・上消化器癌） 化学療法としてオキサリプラチンを投与を受ける方	 <p>THE UNIVERSITY OF SYDNEY</p>  <p>Concord Cancer Centre Concord Repatriation General Hospital</p>
	非盲検 クロスオーバー／シドニー大学 コンコルド癌センター 主任治験医師：ジャネット・バーディー医師 期間：3カ月 患者数：20名 投与量：60mg/日	
目的	<p>【評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・オキサリプラチンによる急性末梢神経障害への予防効果 ・オキサリプラチン・フルオロウラシルと併用した場合の薬物相互作用 ・化学療法誘発性末梢神経障害の症状緩和への効果 	
現況	登録完了	

③ グリオブラストーマ フェーズ1/2 臨床治験

臨床治験概要		パートナー
デザイン	<p>対象疾患：再発性グリオブラストーマ（神経膠芽腫）</p> <p>非盲検、Dose-Escalation (Part1) Fixed-dose (Part2) ダナ・ファーバー癌センター 主任治験医師：パトリック・ウエン医師 期間：1-6カ月 患者数：15-18名 (Part1) 、32名 (Part2) 投与量：60mg/日～</p>	 <p>DANA-FARBER CANCER INSTITUTE HARVARD MEDICAL SCHOOL</p>
目的	<p>【評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none">・ テモゾロミドとの併用療法での安全性・耐容性・ テモゾロミドと併用した場合の薬物相互作用・ 腫瘍無増悪、生命予後への効果	
現況	実施中	


④ DCM（変性頸椎脊椎症）フェーズ3 臨床治験

臨床治験概要		パートナー
デザイン	対象疾患：DCM（変性頸椎脊椎症、手術を受ける予定の方）	  UNIVERSITY OF CAMBRIDGE
	プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ3臨床治験 英国 ケンブリッジ大学 主任治験医師：マーク・コッター医師 期間：術前2-3カ月、術後6ヶ月 患者数：25-80名（Part1）、362名（Part1+Part2） 投与量：60mg/日～	
目的	【評価項目】 <ul style="list-style-type: none"> ・ mJOAスケールの変化 ・ VAS 頸部の痛み 	
現況	準備中	





⑤ 覚醒剤依存症 バイオマーカー 臨床治験

覚醒剤依存症 フェーズ2 臨床治験デザイン : MN-166

パートナー

<p>デザイン</p>	<p>対象疾患：覚醒剤依存症患者（現在は覚醒剤離脱中）リハビリ施設入院中の方</p> <p>プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ2臨床治験 オレゴン保健科学大学 主任責任医師：ミルキー・コウノ博士、ウィリアム・ホフマン医師 期間：6週間 患者数：65名 投与量：100mg/日</p>	
<p>目的</p>	<p>【評価項目】 磁気共鳴分光法（MRS）、陽電子放出断層撮影表（PET）機能的磁気共鳴イメージング（fMRI）を用いて腹側線条体反応を評価</p> <p>MN-166の神経炎症抑制効果が脳機能、腹側線条体に変化</p>	
<p>現況</p>	<p>実施中</p>	




⑥ アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験-1

アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験デザイン : MN-166		パートナー
デザイン	対象疾患 : 中等度～重度のアルコール摂取障害、他の治療をけていない方	 <p>David Geffen School of Medicine</p>   <p>NIH</p>  <p>NIAAA</p>
	プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ2臨床治験 UCLA 主任責任医師 : ララ・レイ博士 期間 : 14日間 患者数 : 50名 投与量 : 100mg/日	
目的	【評価項目】 <ul style="list-style-type: none"> ・ 禁酒による禁断症状の基礎レベルを減少させるか ・ 禁断症状を鈍化させる効果を評価 ・ アルコール離脱症状として不安症状を持つ患者におけるMN-166の効果を評価 	
現況	実施中	

⑦ アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験-2

アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験デザイン : MN-166

パートナー

<p>デザイン</p>	<p>対象疾患：中等度～重度のアルコール摂取障害、他の治療を受けていない方</p> <p>プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ2臨床治験 UCLA 主任責任医師：ララ・レイ博士 期間：12週間 患者数：132名 投与量：100mg/日またはプラセボ</p>	  
<p>目的</p>	<p>【評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・アルコール摂取量の変化 ・多量摂取の減少 ・1日あたりの摂取量 ・アルコール非摂取の度合い <p>【その他】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・不安症状、神経炎症状発現の有無 	
<p>現況</p>	<p>実施中</p>	

⑧ IPF（特発性肺線維症） フェーズ2 臨床治験

IPF（特発性肺線維症） フェーズ2 臨床治験デザイン：MN-001		パートナー
デザイン	対象疾患：中等度～重度のIPF	
	プラセボ対照・無作為二重盲検／非盲検フェーズ2臨床治験 ペンシルバニア州立大学ミルトン・S・ハーシーメディカルセンター 主任治験責任医師：レベッカ・バスコム博士 期間：6カ月の二重盲検比較+6カ月の非盲検 投与量：MN-001（1日2回×750mg）またはプラセボ 2:1の比率	
目的	【主要評価項目】 ・ 努力肺活量および努力肺活量の予測パーセント値の変化 【副次的評価項目】 ・ 安全性及び認容性 ・ 臨床効果：6分間歩行テスト（6MWT）、呼吸困難スケール（MMRC） 特発性肺線維症QOL評価ツール（ATAQ-IPF）など	
現況	実施中（最終患者 登録終了）	

4

学会発表補足

SPRINT-MS NFL データ

ALSバイオマーカー スタディ

SPRINT-MS フェーズ2 臨床治験デザイン : MN-166

パートナー

デザイン

対象疾患：進行型多発性硬化症（一次性、二次性）

非盲検 フェーズ2臨床治験

主任治験医師：ロバート・フォックス 医師

期間：96週間

患者数：255名

投与量：MN-166 ~100mg/日またはプラセボ



目的

【主要評価項目】

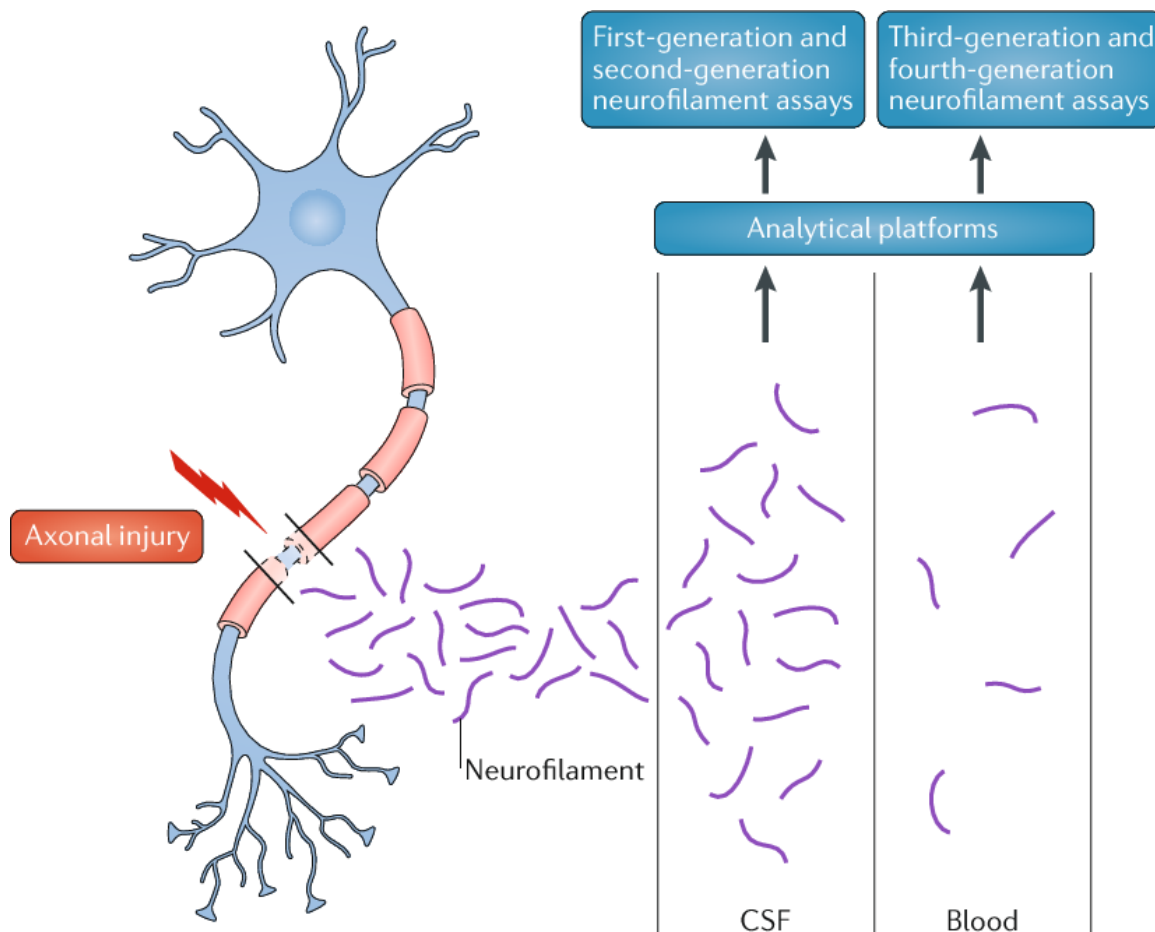
- ・ 脳萎縮をMRIで評価
- ・ 進行型多発性硬化症におけるMN-166~100mg/日の安全性・認容性

【副次的評価項目】

- ・ 網膜、黄斑の画像分析
- ・ 身体障害進行リスク、QoL

NFI (ニューロフィラメント軽鎖)

神経細胞に特異的なタンパク質で中枢神経、末梢神経に広く分布する。神経細胞が何らかの原因で破壊されると、軸索から放出されるが、多発性硬化症やALSに特異的なマーカーではなく、軸索の破壊を伴う場合に放出される



	CSF	血清
プラセボ	1150.8 (n=28)	31.9 (n=120)
MN-166	1290 (n=30)	28.9 (n=119)

SPRINT-MS Study 治療開始前のベースライン ニューロフィラメント値

SPRINT-MS Study ニューロフィラメント ライト 解析 CSF（脳脊髄液値）

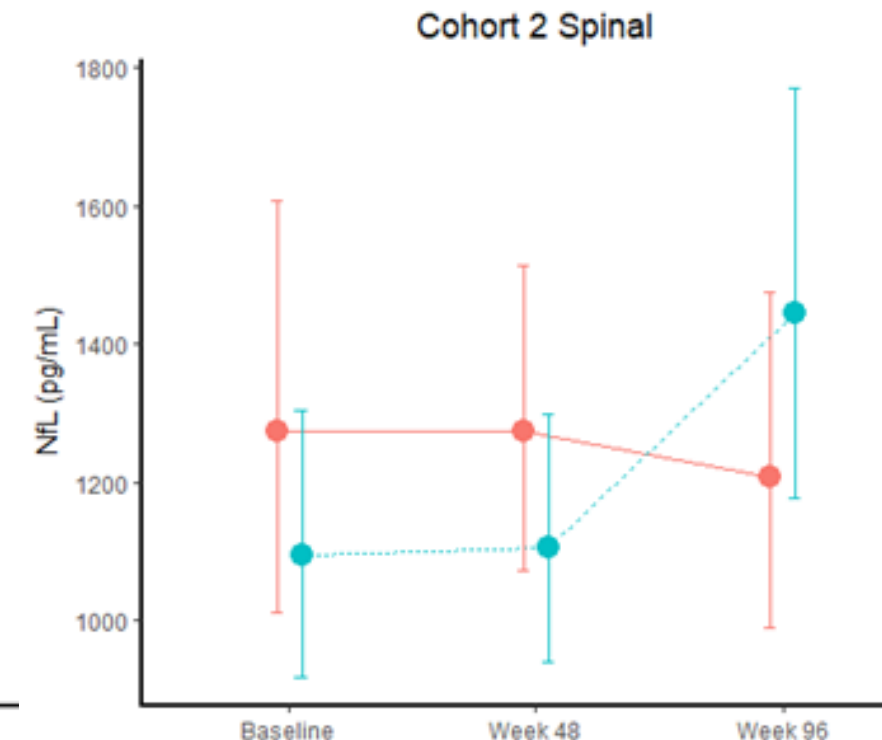
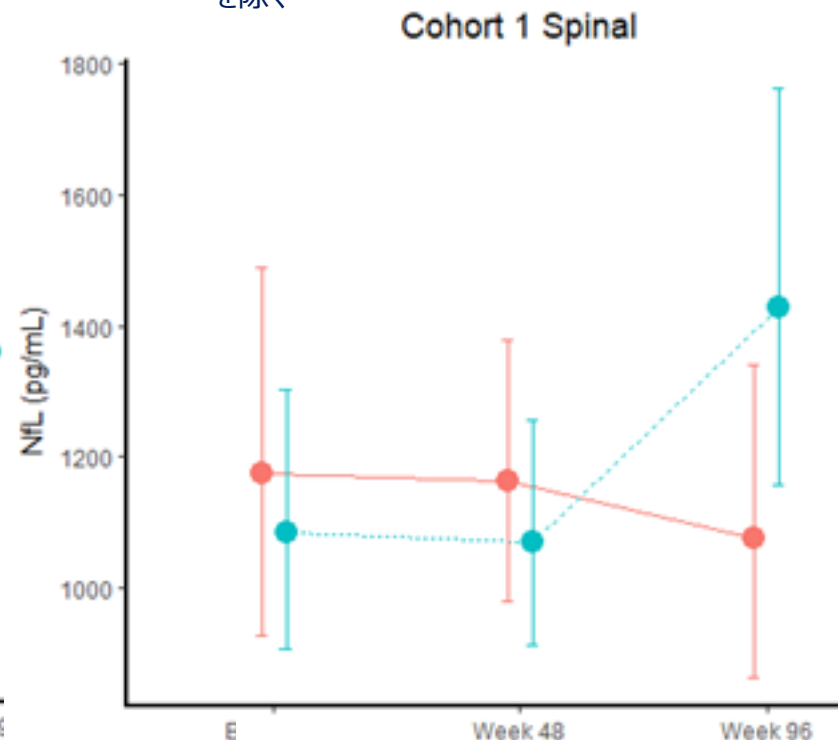
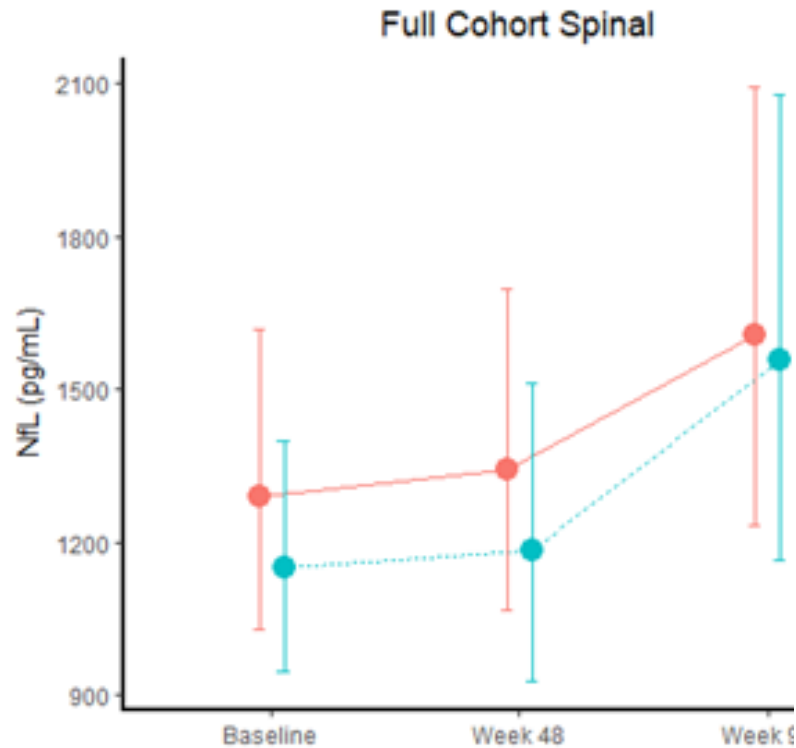
Full ベースライン値	
プラセボ	MN-166
1150.8 (n=28)	1290 (n=30)

Cohort1 ベースライン値	
プラセボ	MN-166
1086.2 (n=26)	1175.7 (n=23)

Cohort2 ベースライン値	
プラセボ	MN-166
1095.4 (n=27)	1275.2 (n=28)

神経疾患SAE、MSの再発（臨床・MRI所見）を除く

神経疾患SAE、MSの再発（臨床・MRI所見X3<）を除く



Treatment
● Ibudilast

SPRINT-MS Study ニューロフィラメント ライト 解析 Serum (血漿)

Full ベースライン値	
プラセボ	MN-166
31.9 (n=120)	28.9 (n=119)

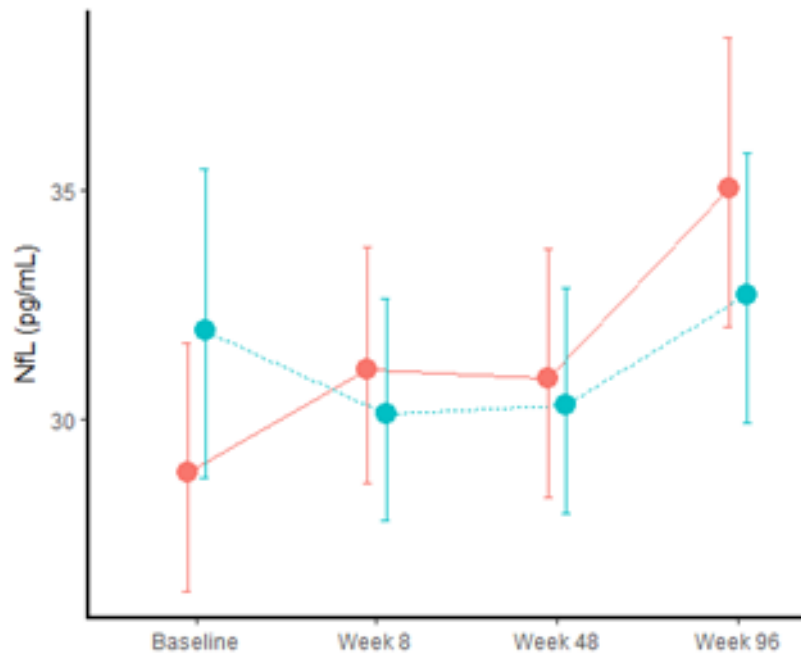
Cohort1 ベースライン値	
プラセボ	MN-166
29.7 (n=94)	28.2 (n=91)

Cohort2 ベースライン値	
プラセボ	MN-166
30.7 (n=105)	27.7 (n=103)

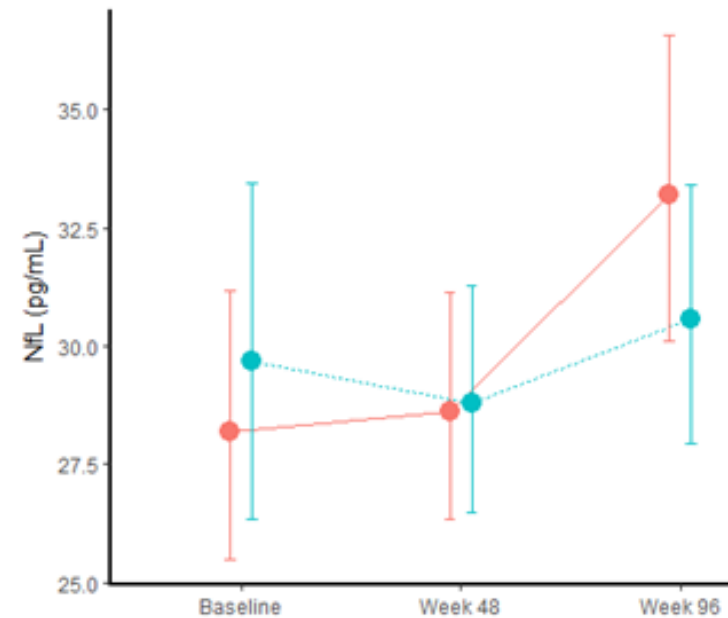
神経疾患SAE、MSの再発（臨床・MRI所見）を除く

神経疾患SAE、MSの再発（臨床・MRI所見X3<）を除く

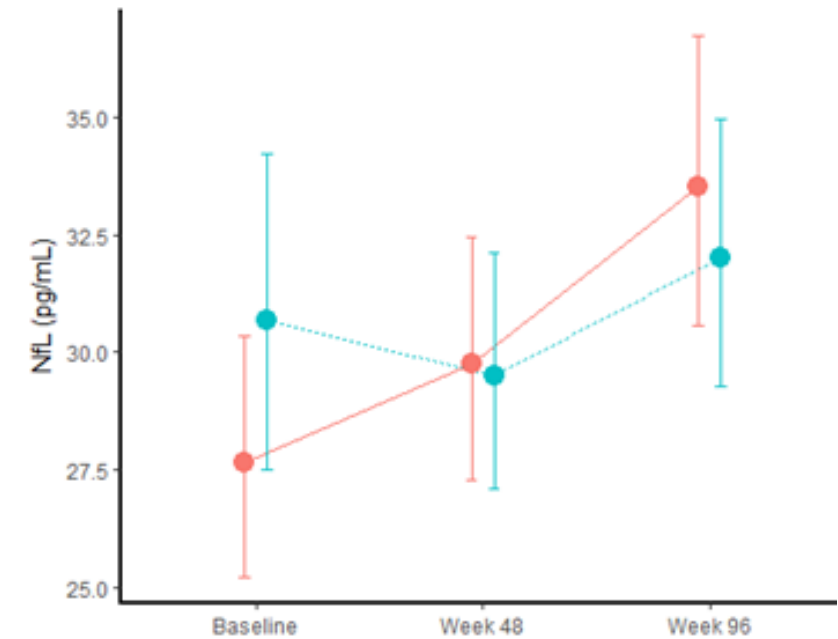
Full Cohort Serum





Cohort 1 Serum

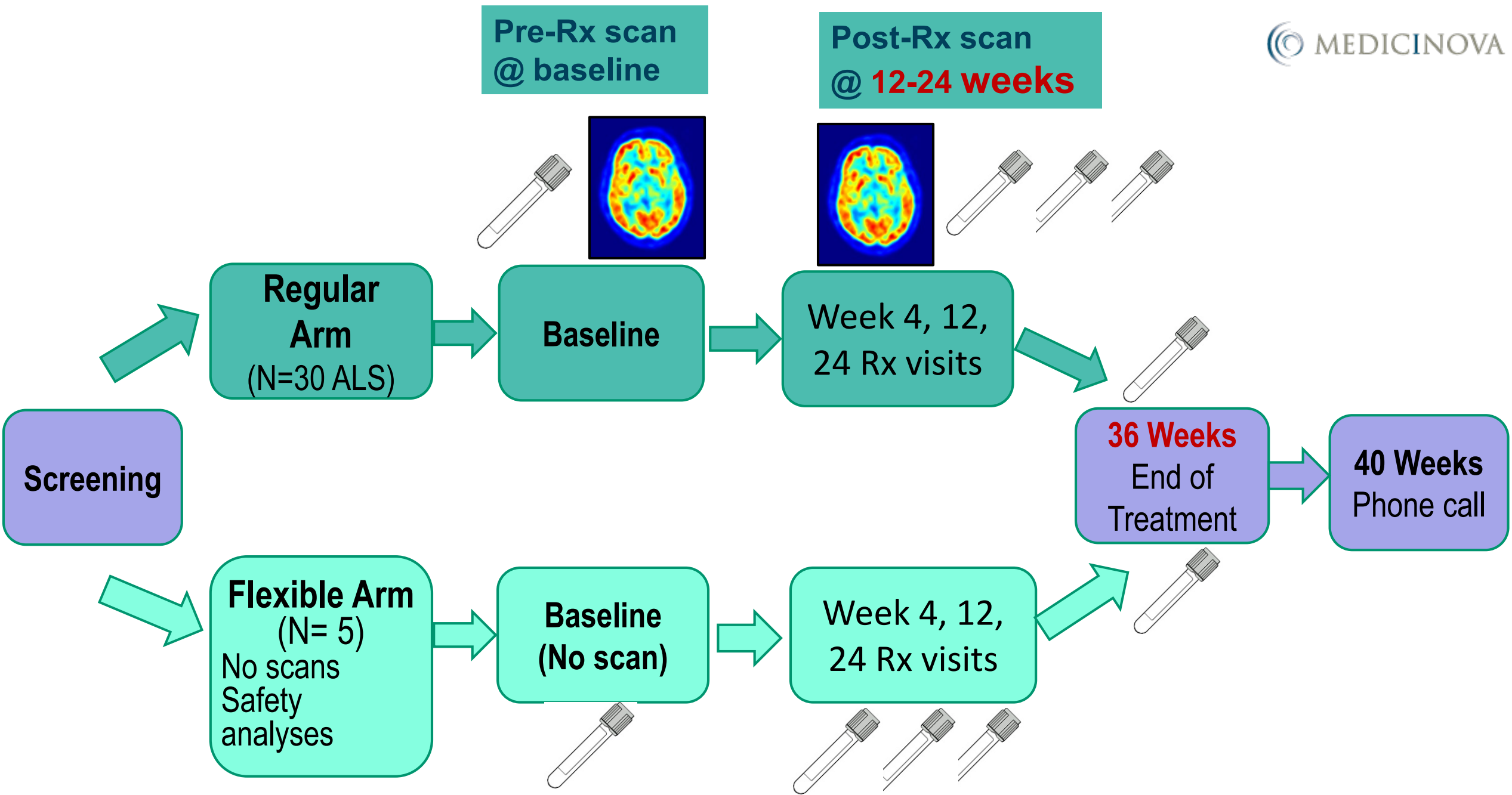


Cohort 2 Serum



Treatment
● Ibudilast ● Placebo

ALSフェーズ2 バイオマーカー臨床治験デザイン : MN-166		パートナー
デザイン	<p>ALS患者</p> <hr/> <p>非盲検 フェーズ2臨床治験 / マサチューセッツ総合病院 主任治験医師 : スマー・バブー医師 期間 : 36週間 患者数 : 35名 投与量 : ~ 100mg/日</p>	 <p>MASSACHUSETTS GENERAL HOSPITAL</p>
目的	<p>【主要評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ グリア活性抑制効果をPETスキャンで評価 ・ 神経炎症 血液バイオマーカーへの影響 <p>【副次的評価項目】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ ALS機能評価スケール (ALSFRS-R) 、肺活量 (SVC) 、筋力など 	 <p>HARVARD MEDICAL SCHOOL</p>



重篤な有害事象 (SAE):

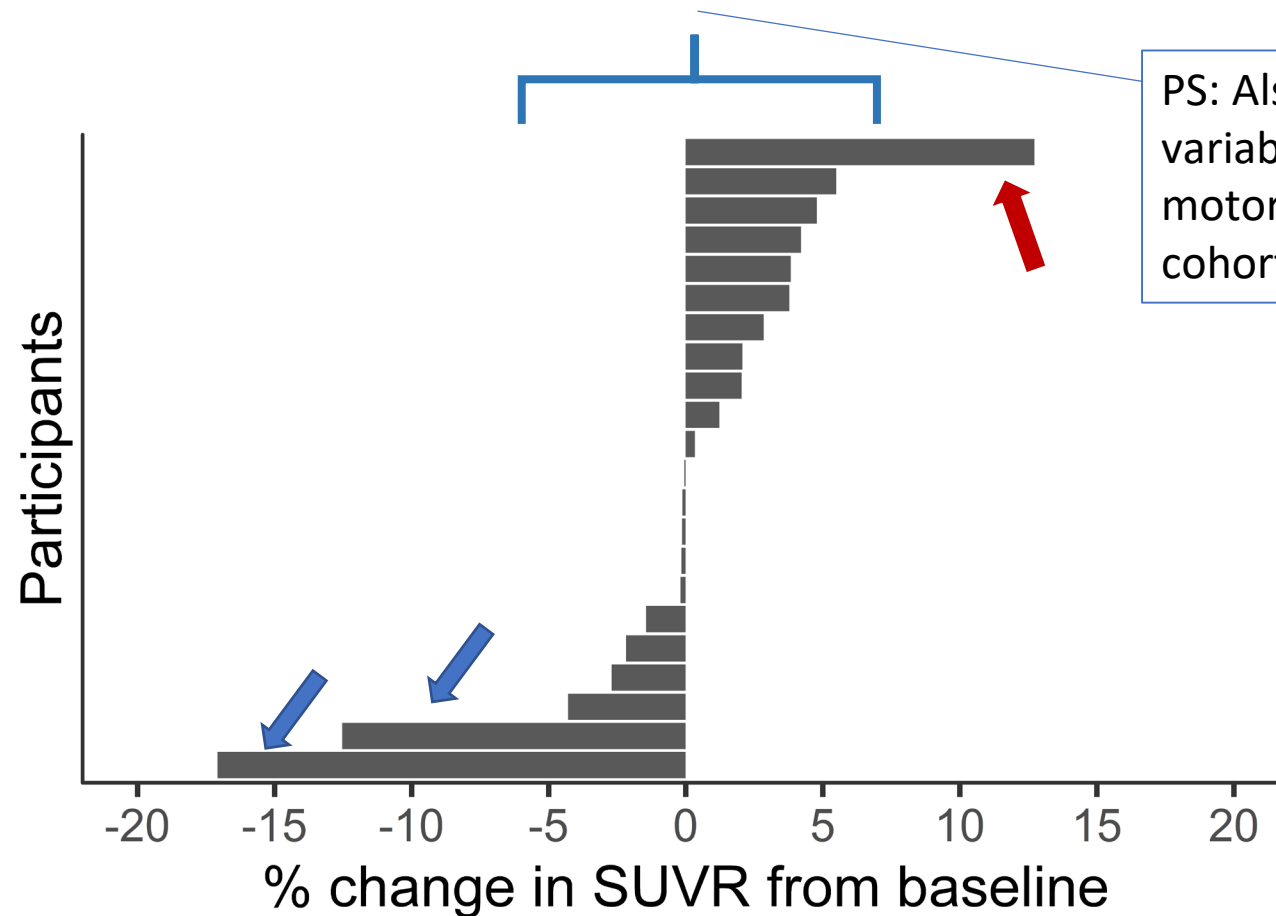
- 9 SAEs. None related to study drug
- 2 resulted in death: 1 肺塞栓症、1 呼吸不全

有害事象:

- 治験薬に関与すると考えられたAEs

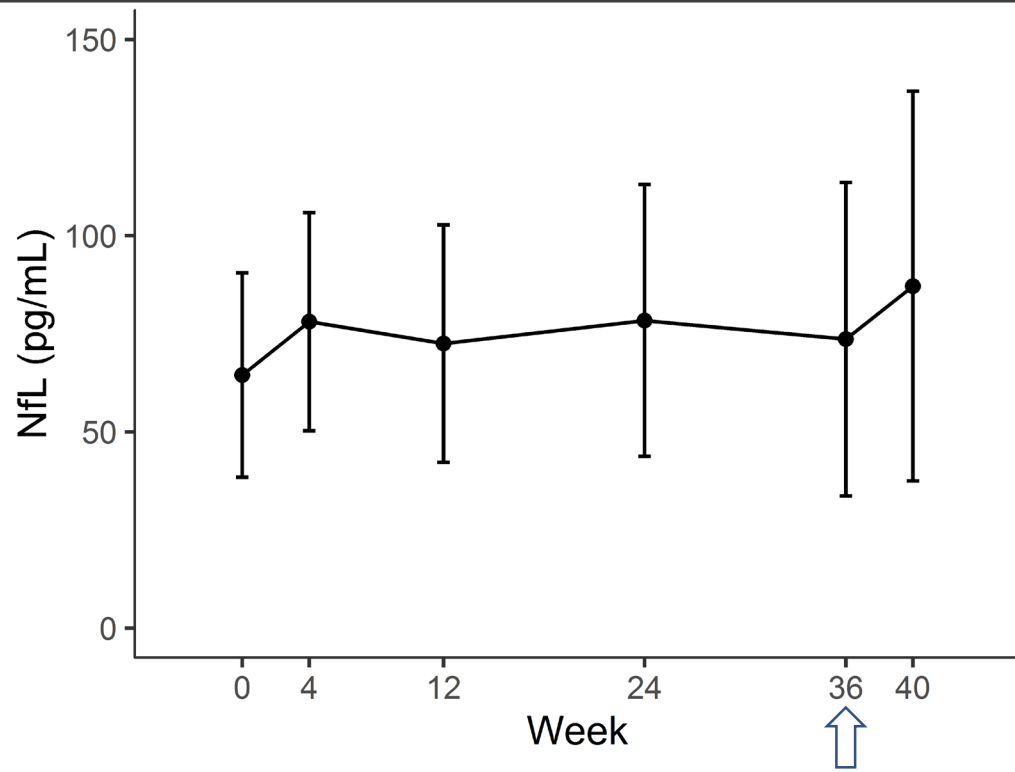
Adverse Event	Number of participants (%) (N= 35)	
Nausea	14	(40%)
Fatigue	9	(26%)
Diarrhea	7	(20%)
Insomnia	7	(20%)
Other GI	7	(20%)
Hot flashes	6	(17%)
Headache	5	(14%)
Dizziness	4	(11%)
Pruritis/skin rash	4	(11%)
Abdominal/Stomach pain	4	(11%)

Delta PBR-PET SUVR for 22 participants remained within expected 7% variability noted in prior PBR28 biomarker studies

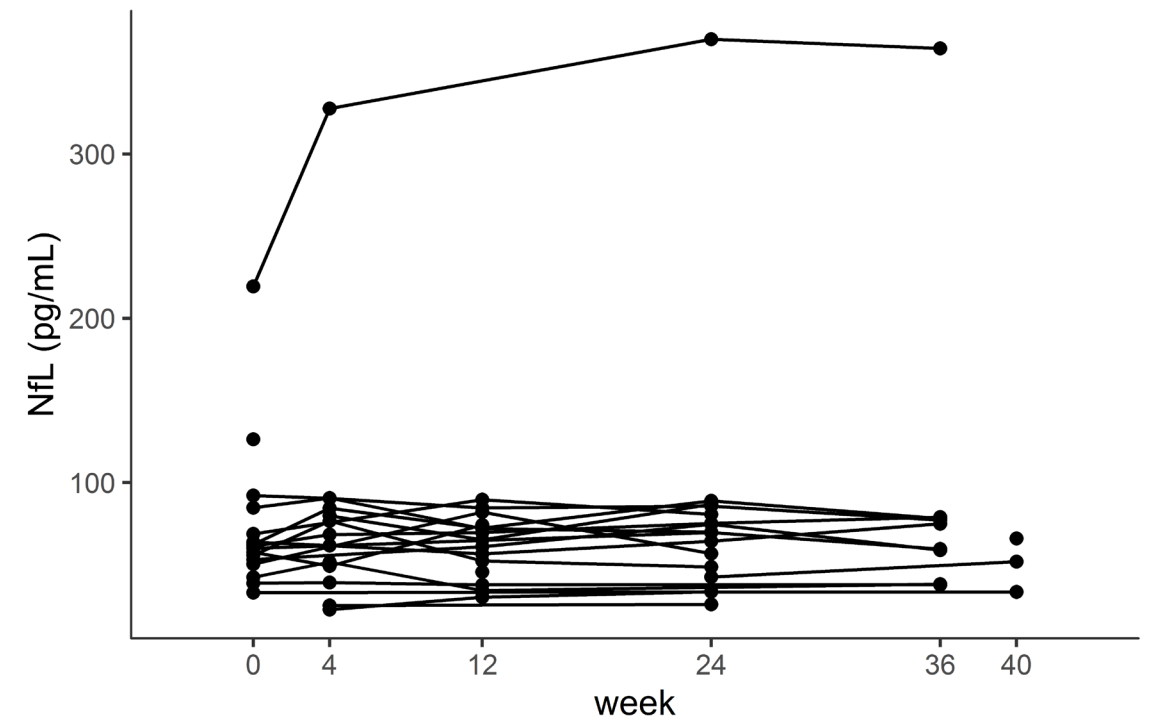


PS: Alshikho et al, 2018: test-retest variability of PBR-PET SUVR is ~7% in motor cortices ALS imaging biomarker cohort.

No significant changes in serum Neurofilament Light (NfL) over 24-36 weeks of MN-166 treatment (N=22 subjects)

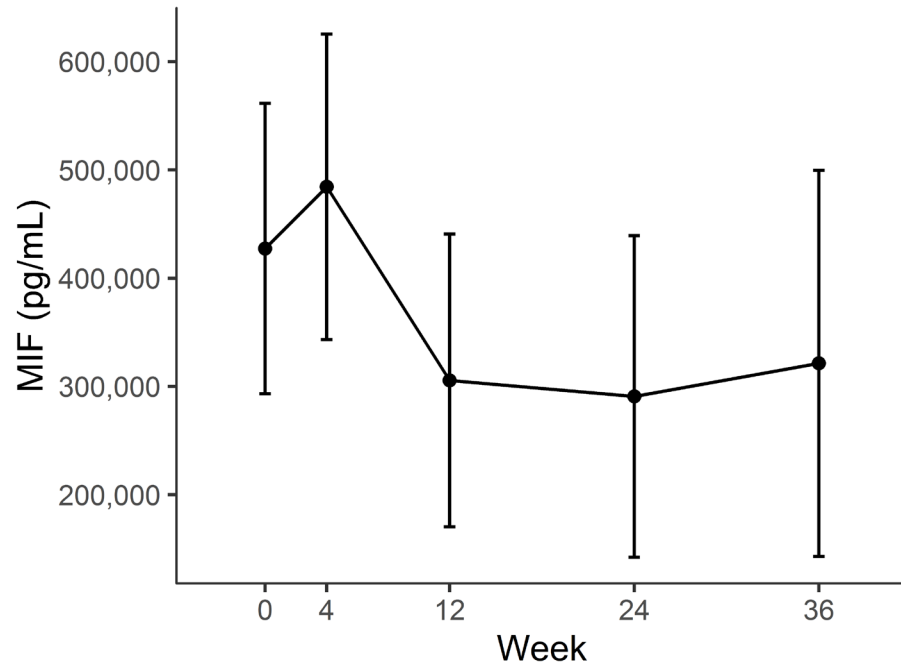


Mean(SE) Change per month: +1.08 (0.89) pg/ml, p=0.23

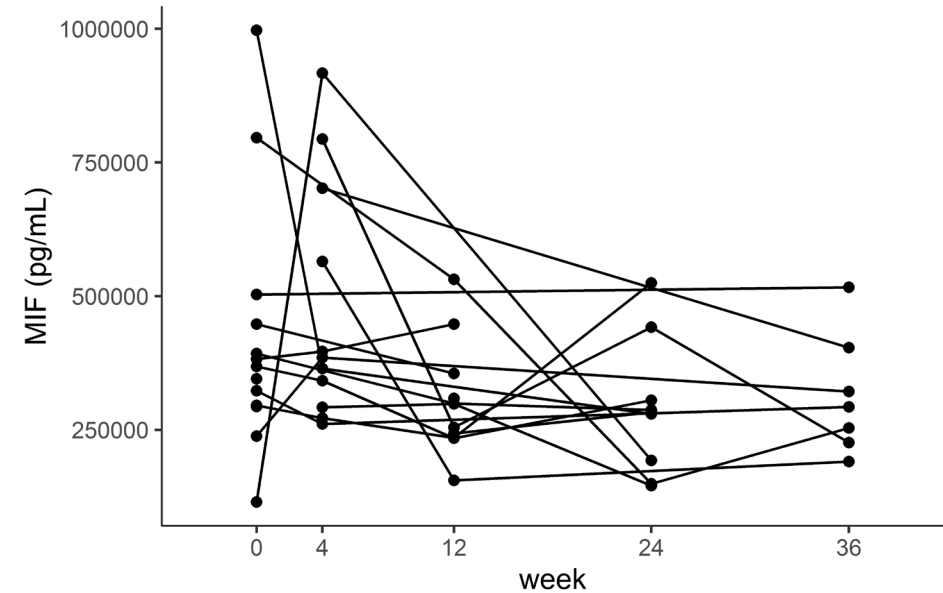


Mean(SD): Pre-treatment (pg/ml): 73.01 (42.8)
Week 24-36 (pg/ml): 78.18 (79.50)

Significant reduction in serum MIF (extra cellular MIF) over 24-36 weeks of MN-166 study treatment (n=19 subjects)



Estimated mean(SE) change/month: -19,845 (8,934) pg/mL, p=0.03 (not corrected for multiple comparisons)



Mean(SD) Pre-treatment (pg/ml): 422,989 (233,440)

Week 24-36 (pg/ml): -300,922 (113,843)

細胞内・外でのMIFの役割



Rare Diseases

Macrophage migration inhibitory factor as a component of selective vulnerability of motor neurons in ALS

Salah Abu-Hamad & Adrian Israelson

To cite this article: Salah Abu-Hamad & Adrian Israelson (2015) Macrophage migration inhibitory factor as a component of selective vulnerability of motor neurons in ALS, Rare Diseases, 3:1, e1061164, DOI: [10.1080/21675511.2015.1061164](https://doi.org/10.1080/21675511.2015.1061164)

To link to this article: <https://doi.org/10.1080/21675511.2015.1061164>

この考えは、運動ニューロンから細胞外へのMIFクリアランスを減少させることにより細胞内MIFを増加させ、MMP9誘導を阻害するアプローチが魅力的な治療戦略となりうることを示唆

ALSモデルスタディ

細胞内でのMIF：（ポジティブ！）

シャペロンとしてSOD1変異によるミスフォールド蛋白の蓄積を抑制

細胞外に分泌されたMIF：（ネガティブ！）

運動ニューロンから細胞外に分泌され、細胞内でのシャペロン活性の低下、ミスフォールド蛋白の蓄積や細胞外MMP9を誘導し、運動ニューロン細胞にさらなる損傷を引き起こす可能性。

5 **今後の開発プラン**
MN-001
MN-166

血清中性脂肪値をターゲットとして開発を進める

- 肝臓専門医 Dr. Gutierrez がコンサルタント
- 現在、新しい治験準備中

アルコール性肝障害をターゲットに開発開始

- 詳細が決定次第 報告する予定

IPF適応での治験の完了

Prog MS 進行性多発性硬化症

- 共同開発の可能性については引き続き交渉継続
- SPRINT-MS Study データの更なる解析～MN-166治療での臨床効果がある患者さんの特徴、背景の解析など

ALS 筋萎縮性側索硬化症

- COMBAT-ALSスタディをグローバルに進める
- ALSサブタイプにおけるMN-166治療効果の検討 (in vitro study)

DCM 変性頸椎脊髓症

- ケンブリッジ大学でのRECEDE治験のサポート

GBM グリオブラストーマ

- DFCIでの治験を進める
- Cleveland Clinic共同研究 : MN-166によるMIF/CD74 阻害を介してMDSC (骨髄由来免疫抑制細胞) を減少させ腫瘍微小環境における免疫活性を増加

CIPN 化学療法誘発末梢神経炎

- シドニー大学での治験のサポート

覚せい剤・アルコール依存症

- UCLA、OHSUでの治験のサポート

6 Appendix

本 社	4275 Executive Square, Suite 300, La Jolla, California 92037, USA
東京事務所	東京都港区西新橋1-11-5 新橋中央ビル5F
設立年月日	2000年9月26日
資本の部	74,894,623米ドル (約81.6億円) ※2019年12月末時点
上場市場	東証JASDAQ (2005年2月8日上場) 米国NASDAQ (2006年12月7日上場)
事業内容	医薬品の開発

執行役員		
岩城 裕一	代表取締役社長兼CEO (最高経営責任者)	ピッツバーグ大学教授、南カリフォルニア大学教授歴任 ジャフコ、日本政策投資銀行顧問役
松田 和子	取締役兼CMO (東京事務所代表副社長) (最高医学責任者)	南カリフォルニア大学Keck メディカルスクール助教授 ロサンゼルス小児病院、ロマリダ大学小児病院
ジェフリー・オブライエン	副社長 管理部門担当	UBS, DLJ/クレディ・スイス・ファースト・ボストン、野村、 パンク・ズーガルの株式アナリスト
カーラ・ライエス	CFO (最高財務責任者)	サンディエゴ小児病院 シグニチャー・アナリティックスCFO

(独立) 取締役		
ジェフ・ヒマワン	取締役会長	エセックス・ウッドランズ・ヘルス・ベンチャーズマネージング・ディレクター シードワンベンチャーズ共同創業
小林 温	取締役	セガサミーホールディングス株式会社顧問 参議院議員 (経済産業大臣政務官、参議院自由民主党政策審議会副会長)
石坂 芳男	取締役	トヨタ自動車顧問、トヨタ自動車海外部門統括担当副社長 米国トヨタ自動車販売社長
長尾 秀樹	取締役	佐川アドバンス・SGシステム監査役、SGアセットマックス社長 SGホールディングス経営戦略部担当部長、日本政策投資銀行新産業創造部長

2018年・2019年 MN-166 開発ハイライト

- 2017年10月 **ECTRIMSで脳萎縮データ解析発表**
- 2017年12月 **ALS・MNDシンポジウムで発表**
- 2018年2月 **ACTRIMSでEDSSデータ解析発表**
- 2018年3月 **シドニー大学 CIPN治験開始**
- 2018年4月 **AAN総会プレナリーセッションで発表**
- 2018年4月 **OHSU 覚せい剤依存治験開始**
- 2018年7月 **ALS1201サブグループ解析結果発表**
- 2018年8月 **SPRINT-MSの治験結果がNEJMに掲載**
- 2018年8月 **UCLA アルコール依存症治験開始**
- 2018年9月 **NIHより最終的な治験データを受領**
- 2018年9月 **FDAから次のALS治験へのフィードバック**
- 2018年9月 **Novartis社がSiponimodをNDA申請**
- 2018年10月 **グリオブラストーマ適応でオーファン・ドラッグ指定**
- 2018年12月 **ALS・MNDシンポジウムで発表**
- 2019年1月 **神経変性疾患での特許取得（リルゾール併用療法）
再発性グリオブラストーマを対象とする治験開始**
- 2019年3月 **FDAが再発性SPMS適応の新薬を承認**
- 2019年4月 **グリオブラストーマでの特許取得（併用療法）**
- 2019年4月 **サブグループ解析結果発表**
- 2019年4月 **FDAよりALS2301治験プロトコル承認**
- 2019年5月 **AAN総会で追加解析データを発表**
- 2019年5月 **ケンブリッジ大学 DCM治験キックオフMeeting**
- 2019年7月 **FDAから次のSPMS治験へのフィードバック**
- 2019年9月 **ALS2301治験プロトコル改訂**
- 2019年10月 **ALSの適応でカナダでの用法特許取得**
- 2019年12月 **ALS・MNDシンポジウムで発表**

免責事項

- 本資料は、弊社をご理解いただくための情報提供を目的としたものであり、弊社が発行する有価証券への投資を勧誘するものではありません。本資料に全面的に依拠した投資等の判断は差し控え願います。
- 本資料に記載されている弊社以外の企業に関する情報は、公開されている情報などから引用しており、その情報の正確性などについて保証するものではありません。

IRに関するお問い合わせ先

MediciNova, Inc. 東京事務所 IR担当

E-mail infojapan@medicinova.com

URL <https://medicinova.jp/>