

2021年12月期 第2四半期 決算補足説明資料

MediciNova, Inc.
(JASDAQ : 4875 / NASDAQ : MNOV)

2021年8月13日

1 2021年12月期 第2四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗アップデート

- MN-166 (イブジラスト)
- MN-001 (タイペルカスト)

3 Appendix

1 2021年12月期 第2四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗アップデート

- MN-166 (イブジラスト)
- MN-001 (タイペルカスト)

3 Appendix

連結業績概要①／損益計算書（要約）

（単位：米ドル）

※カッコ内単位：千円 / 2021年7月30日時点の仲値1ドル=109.49円で換算

	FY20／2Q (①)	FY21／2Q (②)	増減額 (②－①)	補足
営業収益	0 (0)	4,000,000 (437,960)	4,000,000 (437,960)	FY21／1Qにマイルストーン収入を計上
研究開発費・特許費	3,449,781 (377,716)	4,672,397 (511,580)	1,222,616 (133,864)	ALSを適応とする第Ⅲ相治験にかかる費用が増加
一般管理費	3,985,084 (436,326)	3,838,645 (420,293)	△ 146,439 (△ 16,033)	コンサルタント料及び株価の下落に伴い株式報酬費用が減少
営業利益	△ 7,434,865 (△ 814,043)	△ 4,511,042 (△ 493,913)	2,923,823 (320,129)	
その他費用	16,894 (1,849)	31,904 (3,493)	15,010 (1,643)	
受取利息	286,971 (31,420)	71,006 (7,774)	△ 215,965 (△ 23,646)	
当社株主に帰属する 四半期純利益	△ 7,164,788 (△ 784,472)	△ 4,471,940 (△ 489,632)	2,692,848 (294,839)	

連結業績概要②／貸借対照表（要約）

	20／6月末	21／6月末	増減額
資産の部			
流動資産			
現金及び現金同等物	60,036,763	77,792,263	17,755,500
前払費用・その他流動資産	680,171	1,117,443	437,272
仕掛研究開発費	4,800,000	4,800,000	—
固定資産			
のれん	9,600,240	9,600,240	—
有形固定資産	55,700	68,574	12,874
その他長期資産	246,236	305,328	59,092
資産合計	75,419,110	93,683,848	18,264,738

（単位：米ドル）

第三者割当増資 +20百万米ドル
 マイルストーン収入 +4百万米ドル

少なくとも
2022年末までの事業資金を確保

連結業績概要③／貸借対照表（要約）

	20/6月末	21/6月末	増減額
負債の部			
(単位：米ドル)			
流動負債			
買掛債務	616,629	607,155	△ 9,474
支払債務・その他流動負債	1,577,321	1,859,417	282,096
固定負債			
長期繰延収益	1,694,163	1,694,163	—
繰延税金負債	201,792	201,792	—
その他長期負債	2,705	87,007	84,302
負債合計	4,092,610	4,449,534	356,924
純資産の部			
普通株式 額面0.001米ドル	45,025	48,924	3,899
払込剰余金	454,296,536	476,677,849	22,381,313
その他包括損失累計額	△ 88,219	△ 93,677	△ 5,458
累積欠損	△ 382,926,842	△ 387,398,782	△ 4,471,940
純資本合計	71,326,500	89,234,314	
負債・純資産合計	75,419,110	93,683,848	18,264,738











1 2021年12月期 第2四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗アップデート
– MN-166 (イブジラスト)
– MN-001 (タイペルカスト)

3 Appendix

MN-166 (イブジラスト)

現在進行中の研究開発PJ : MN-166

プログラム／インディケーション		FDA指定	第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相	状況
MN-166 イブジラスト 経口 抗炎症作用 神経保護作用	COVID-19 コロナウイルスに起因する重篤肺炎 (ARDS) イェール大学、コロラド大学					第Ⅱ相試験実施中
	塩素ガス暴露に起因する急性肺損傷 Funded by BARDA (アメリカ連邦政府機関)					第Ⅱ相試験実施中
	多発性硬化症 (MS) NeuroNEXT / Cleveland Clinic (Funded by NINDS, NIH)	ファストトラック				第Ⅲ相試験準備中
	筋委縮性側索硬化症 (ALS) N.Carolinas / Massachusetts General Hospital (MGH)	ファストトラック オーファンドラッグ				第Ⅲ相試験実施中
	変性頸椎脊椎症 (DCM) University of Cambridge (Funded by NIHR in the UK)					第Ⅲ相試験実施中
	化学療法誘発性末梢神経障害 (CIPN) シドニー大学 (Funded by Concord Cancer Centre)					第Ⅱ相試験実施中
	グリオブラストーマ (GBM) ハーバード大学、ダナ・ファーバー癌センター	オーファンドラッグ				第Ⅲ相試験準備中
	覚醒剤依存症 UCLA / Oregon Health & Science (Funded by NIDA / VA)	ファストトラック				第Ⅱ相試験実施中
	オピオイド依存症 コロンビア大学 (Funded by NIDA)					第Ⅱ相試験実施中
	アルコール依存症 UCLA (Funded by NIAAA / NIDA / NIH)					第Ⅱ相試験終了 第Ⅱ相試験実施中

MN-166（イブジラスト）においては、まず、BARDA（米国生物医学先端研究開発機構）との提携のもと、塩素ガス暴露による肺障害を対象とした開発の動物モデルを用いた最初の前臨床試験を開始しました。加えて、2つ目の動物モデルを用いた試験の実施について合意に至りました。

また、眼科領域での神経変性疾患、神経変性障害の治療を対象として出願中の特許に対して、米国特許庁より承認の通知を受領しました。このことは、MN-166（イブジラスト）の広範な疾患に対する適応の可能性を示すものです。

新規のプロジェクトに加えて、従来からのプロジェクトについても、力強い進展がありました。

アルコール使用障害を対象とするフェーズ2（第Ⅱ相）臨床治験のポジティブな結果がNature関連誌

「Translational Psychiatry」に掲載されました。これは、MN-166（イブジラスト）の作用機序の有効性を更に強化するものであり、神経疾患領域で有望な結果をもたらすこの薬のポテンシャルを改めて示しました。

筋委縮性側索硬化症（ALS）を対象としたフェーズ3（第Ⅲ相）臨床治験については、被験者の組み入れを継続しています。また、最近、欧州にて出願中の特許に関して、欧州特許庁より特許登録意向の通知を受領しました。

本特許出願は、ALSの治療法として、MN-166（イブジラスト）とリルゾールの併用を請求したものです。

当社は、最近、ALS臨床治験の責任医師であるブルックス博士及びオスカーソン博士と共に、ALSの患者さん及びコミュニティに向けたウェビナーを行いました。そこでは、MN-166（イブジラスト）について、これまでに報告された有望なデータと、本剤が安全性を損なうことなく長年の治療のギャップを埋める可能性があることが紹介されました。

新たな特許について

2021年7月、眼科疾患への適応を請求した出願中の特許に対して、承認通知を受領。当該特許は、登録されると、少なくとも2039年10月まで有効に存続。

筋委縮性側索硬化症（ALS）を対象とした、リルゾールとの併用を請求した特許出願について、欧州特許庁より特許登録意向通知を受領。本特許が登録されれば、少なくとも2035年11月まで有効に存続。当社は、当社が以前実施したALS対象のフェーズ2（第II相）臨床試験の結果として、MN-166（イブジラスト）とリルゾールの併用群は、リルゾール単独投与群に比べて、治療に対するレスポンスが多いことを発表しています。

アルコール使用障害に対するポジティブなフェーズ2 臨床試験結果がNature関連誌に掲載

2021年6月、MN-166（イブジラスト）のアルコール使用障害（AUD）に対するポジティブなフェーズ2（第II相）試験の結果がNature関連誌の「Translational Psychiatry」に掲載。当該臨床試験は、無作為化二重盲検プラセボ対照フェーズ2臨床試験で、アルコール使用障害（AUD）患者を対象に抑うつ気分、大量アルコール摂取、脳内神経報酬シグナルに対するMN-166（イブジラスト）の治療効果を評価。本臨床試験には、計52名のAUD患者が登録されました。

当該論文の結果の概要は以下の通り。MN-166（イブジラスト）治療は、AUD患者のネガティブな気分の改善に対しては有意な効果を示さなかったものの、プラセボと比較し、長期にわたる大量アルコール摂取のオッズを45%減少（ $p=0.04$ ）させ、飲酒しない日のアルコール渴望度を有意に減少（ $p=0.02$ ）させました。

BARDA（米国生物医学先端研究開発機構）との提携、塩素ガス暴露による肺障害に対する前臨床の動物試験を開始
2021年6月、ヒツジを用いた動物試験を開始、加えて、マウスを用いた動物試験の実施に関するBARDAとの合意を発表。一連の試験は、MN-166（イブジラスト）を、治療法・医療対策（Medical Countermeasure : MCM）の候補として評価するもので、具体的には、塩素ガス暴露による急性呼吸困難症候群（ARDS）や急性肺損傷（ALI）などの肺障害を対象としています。ヒツジでの前臨床試験は、ヒツジの塩素ガス暴露による肺損傷動物モデルを用いて、MN-166（イブジラスト）の肺機能、肺損傷及び浮腫形成、心肺の血行動態、全身の血管透過性などへの効果を評価します。げっ歯類モデルでは、マウスを塩素ガスに暴露したうえで、MN-166（イブジラスト）を投与し、生存率、臨床所見、体重、肺重量及び肺組織・上気道の病理組織学的所見などに対する効果を評価します。

進行型多発性硬化症プログラムの提携活動を継続

進行型多発性硬化症（PMS）を対象したフェーズ3（第Ⅲ相）臨床試験に関しては、実施資金の調達の観点から、開発提携を模索しています。フェーズ2b試験の有望な結果、特に、再発がない二次性進行型多発性硬化症（SPMS）に対する有望な結果と、FDA（米国食品医薬品局）との協議の結果から、フェーズ3（第Ⅲ相）試験は、再発のないSPMSを対象とし、主要評価項目は、3ヵ月以上継続する事前に定義した身体的障害の進行が認められるまでの期間とする計画です。

筋委縮性側索硬化症（ALS）を対象としたフェーズ3（第Ⅲ相）臨床治験の患者組み入れを継続進行

筋委縮性側索硬化症（ALS）を対象とするフェーズ3（第Ⅲ相）臨床治験であるCOMBAT-ALS臨床治験について、患者組み入れを継続進行中。本治験は、多施設、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の治験であり、MN-166（イブジラスト）の効果及び安全性を、ALS患者への投与で評価するもので、12か月間の投与期間とそれに引き続く、6か月のオープンラベル継続投与試験からなります。主要評価項目は、生存期間及び12か月時点でのALSFRS-Rスコアのベースラインからの変化です。

ALS治療におけるMN-166（イブジラスト）のポテンシャルをALS患者さん及びコミュニティにより良く知ってもらう目的で、当社は、2021年6月に、ウェビナーを主催しました。このウェビナーでは、COMBAT-ALS臨床治験の治験責任医師であるビョルン・オスカーソン博士及び、MN-166（イブジラスト）のALSを対象とした最初の臨床治験を主導したベンジャミン・ブルックス博士からの発表があり、MN-166（イブジラスト）の作用機序、COMBAT-ALS臨床治験の治験デザイン、ALSを対象としたフェーズ2 治験から得られた知見の紹介がなされました。

本ウェビナーは下記から視聴することが出来ます。

【視聴webサイト】 <https://medicinova.com/medicinova-webinar/>

グリオブラストーマ対象臨床治験の安全性評価レビュー



MN-166（イブジラスト）とテモゾロミドをグリオブラストーマに併用するフェーズ2（第Ⅱ相）臨床治験のPart 1部分の安全性レビューを完了。本治験は、再発性のグリオブラストーマ患者15名を対象に実施されたオープンラベルの臨床治験で、ダナ・ファーマー癌研究所で実施され、容量漸増パート（Part 1）と、その後の容量固定パート（Part 2）から構成されています。Part 1では、問題となるような安全性シグナルは認められず、MN-166（イブジラスト）投与に関する深刻な有害事象（SAE）は観察されませんでした。15名のうち、5名は疾患の進行がないまま計6サイクルの治療を完了。つまり、33%の患者は6か月時点で無憎悪でした。

COVID-19に伴う急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を対象としたフェーズ2（第Ⅱ相）臨床治験の患者募集

COVID-19に伴うARDS発症リスクの高い患者を対象としたフェーズ2（第Ⅱ相）臨床治験について、当初計画の75%の患者の組み入れを完了。本治験は、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の治験であり、標準治療（抗凝固療法を含む）を受けているARDS発症リスクのある入院中のCOVID-19患者を対象としています。

主要評価項目は、呼吸不全にならなかった患者の比率、NIAID8ポイントスケールで測定された被験者の臨床状態の変化、7日間の治療後の血漿サイトカインの値の変化です。

MN-001 (タイペルカスト)

プログラム/インディケーション		FDA指定	第 I 相	第 II 相	第 III 相	状況
MN-001 タイペルカスト 経口 抗炎症作用 抗線維化作用	NASH/NAFLD (非アルコール性脂肪肝、肝炎) 南カリフォルニア肝臓病 Consortium	ファストトラック				第 II 相 b 試験準備中
	特発性肺線維症 (IPF) ペンシルバニア州立大学、Hershey Med Center	ファストトラック オーファンドラッグ				第 I 相 b 試験終了

MN-001（タイペルカスト）においては、特発性肺線維症（IPF）を対象としたフェーズ2（第Ⅱ相）臨床試験では、ほとんどの評価項目について明確な臨床効果を示すことができませんでしたが、MN-001（タイペルカスト）投与群でIPFの憎悪イベントの減少が認められ、加えてIPFのバイオマーカーであるLOXL2を減少させることが示されました。

MN-001（タイペルカスト）を非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）を対象として開発するフェーズ2（第Ⅱ相）臨床試験の Protokol について、共同研究者とともに最終化している段階です。

特発性肺線維症（IPF）を対象としたフェーズ2 臨床治験の結果

特発性肺線維症（IPF）を対象としたフェーズ2（第II相）臨床治験は、合計15名の患者組み入れを完了。内訳はMN-001（タイペルカスト）投与群が10名、プラセボ投与群が5名です。本治験は、無作為化、二重盲検、プラセボ対照のフェーズ2臨床治験で、IPF患者を対象に、26週間の投与でMN-001（タイペルカスト）の効果及び安全性を評価する治験です。主な評価項目に対して、MN-001（タイペルカスト）投与による、臨床的に意味のある好ましいトレンドは認められませんでした。MN-001（タイペルカスト）投与群では、IPFの臨床イベント（急性IPF増悪または呼吸器症状による入院）の悪化が全く認められなかった一方、プラセボ投与群では、1例の悪化が認められました。また、MN-001（タイペルカスト）投与群ではIPFのバイオマーカーであるLOXL2の大幅な減少が認められました。一方、プラセボ投与群では、LOXL2の増加が認められました。MN-001（タイペルカスト）の安全性及び忍容性は良好でした。

非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）を対象としたの2本目のフェーズ2（第II相）臨床治験の準備

非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）及び非アルコール性脂肪肝疾患（NAFLD）を対象としたフェーズ2（第II相）臨床治験が、良好な途中解析結果を受けて、早期完了しました。当社は、より規模の大きいフェーズ2試験の実施を目指し、現在治験プロトコルの最終化を行っています。MN-001（タイペルカスト）は早期完了した治験の主要評価項目である血清中のトリグリセリド量を有意に減少（ $p=.02$ ）させました。

1 2021年12月期 第2四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗アップデート

- MN-166 (イブジラスト)
- MN-001 (タイペルカスト)

3 Appendix

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。

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	89,234,314米ドル (約97.7億円) ※2021年6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 ジャフコ、日本政策投資銀行顧問
松田 和子	取締役兼CMO (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・ズィーガルの株式アナリスト
フェデリコ・ガエータ	CSO (最高科学責任者)	Bristol Myers Squibb, Merck Avigen, Geron, Cytel
デビッド・クリーン	CBO (最高業務責任者)	Allergan (現AbbVie) .シニアディレクター Objective Capital Partners. マネージング・ディレクター
ダグラス・ポーリン	CFO (最高財務責任者)	Pay Lease.財務責任者、Autonet Mobile.CFO Sonos.財務担当取締役、Aernos.財務責任者

(独立) 取締役		
ジェフ・ヒマワン	取締役会長、報酬委員会、委員長	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
キャロリン・ビーバー	取締役、監査委員会、委員長	オルガノボホールディング.取締役、セクオコム.CFO, ベックマンコールター.CAO
長尾 秀樹	取締役、統治委員会、委員長	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

MediciNova,Inc. (メディシノバ・インク)
東京事務所 IR担当

E-mail : infojapan@medicinova.com

URL : <https://medicinova.jp/>

- 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わる情報は、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。
- 本資料に記載されている将来の見通しに関する記述は、本資料の日付現在において入手可能な情報を踏まえた当社グループの現在の前提及び見解に基づくものであり、将来の業績の保証を意味するものではありません。また当社は、本資料に記載される将来の見通しに関する記述その他当社が行う将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。