



# 2021年12月期 決算補足説明資料

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

2022年3月1日

- 1** 2021年12月期 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
  - CEOコメント
  - 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 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

- CEOコメント
- 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 / 2022年1月31日時点の仲値1ドル=115.44円で換算

	FY20 (①)	FY21 (②)	増減額 (②-①)	補足
営業収益	0 (0)	<b>4,037,500</b> (466,089)	4,037,500 (466,089)	Sanofi社からマイルストーン収入を計上
研究開発費・特許費	7,484,835 (864,049)	<b>8,538,027</b> (985,629)	1,053,192 (121,580)	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	6,693,488 (772,696)	<b>5,715,285</b> (659,772)	△ 978,203 (△112,923)	株式報酬費用及び法務費用が減少 ストックオプションの見積公正価値が減少
営業利益	△ 14,178,323 (△1,636,745)	△ <b>10,215,812</b> (△ 1,179,313)	3,962,511 (457,432)	
その他費用	△ 38,404 (△4,433)	△ <b>59,498</b> (△6,868)	21,094 (△2,435)	
受取利息	361,182 (41,694)	<b>143,626</b> (16,580)	△ 217,556 (△25,114)	利息金利が低下
当社株主に帰属する 当期純利益	△ 13,853,897 (△1,599,293)	△ <b>10,134,252</b> (△1,169,898)	3,719,645 (429,395)	

# 連結業績概要②／貸借対照表（要約）

	20/12月末	21/12月末	増減額
<b>資産の部</b>			
(単位：米ドル)			
<b>流動資産</b>			
現金及び現金同等物	60,036,763	<b>71,430,954</b>	11,394,191
前払費用・その他流動資産	680,171	<b>577,992</b>	△ 102,179
仕掛研究開発費	4,800,000	<b>4,800,000</b>	—
<b>固定資産</b>			
のれん	9,600,240	<b>9,600,240</b>	—
有形固定資産	55,700	<b>57,565</b>	1,865
使用権資産	170,857	<b>824,215</b>	653,358
その他長期資産	75,379	<b>115,492</b>	40,113
<b>資産合計</b>	<b>75,419,110</b>	<b>87,406,458</b>	<b>11,987,348</b>

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  
 2023年末までの事業資金を確保**

オフィス賃貸契約の延長に伴う増加  
 (米国会計基準、新リース会計基準による)

# 連結業績概要③／貸借対照表（要約）

	20/12月末	21/12月末	増減額
<b>負債の部</b>			
<b>流動負債</b>			
買掛債務	616,629	<b>402,740</b>	△ 213,889
支払債務・その他流動負債	1,391,293	<b>2,298,203</b>	906,910
オペレーティング・リース負債	186,028	<b>131,965</b>	△ 54,063
<b>固定負債</b>			
長期繰延収益	1,694,163	—	△ 1,694,163
繰延税金負債	201,792	<b>201,792</b>	—
その他長期負債	2,705	<b>694,674</b>	691,969
<b>負債合計</b>	<b>4,092,610</b>	<b>3,729,374</b>	△ 363,236
<b>純資産の部</b>			
普通株式 額面0.001米ドル	45,025	<b>49,043</b>	4,018
払込剰余金	454,296,536	<b>476,788,012</b>	22,580,476
その他包括損失累計額	△ 88,219	△ <b>98,877</b>	△ 10,658
累積欠損	△ 382,926,842	△ <b>393,061,094</b>	△ 10,134,252
<b>純資本合計</b>	<b>71,326,500</b>	<b>83,677,084</b>	
<b>負債・純資産合計</b>	<b>75,419,110</b>	<b>87,406,458</b>	11,987,348

(単位：米ドル)

オフィス賃貸契約の延長に伴う増加  
(米国会計基準、新リース会計基準による)

# 連結業績概要④ / キャッシュ・フロー (要約)

(単位：米ドル)

※カッコ内単位：千円 / 2022年1月31日時点の仲値1ドル=115.44円で換算

	FY20 (①)	FY21 (②)	増減額 (②-①)
営業活動による キャッシュ・フロー	△ 10,826,362 (△ 1,249,795)	△ 9,381,605 (△ 1,083,012)	1,444,757 (166,782)
投資活動による キャッシュ・フロー	△ 36,492 (△ 4,212)	△ 28,732 (△ 3,316)	7,760 (895)
財務活動による キャッシュ・フロー	7,105,759 (820,288)	20,777,981 (2,398,610)	13,672,222 (1,578,321)
合 計	△ 3,757,095 (△ 433,719)	11,367,644 (1,312,280)	15,124,739 (1,745,999)

## 1 2021年12月期 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

- CEOコメント
- MN-166 (イブジラスト)
- MN-001 (タイペルカスト)

## 3 Appendix



# 現在進行中の臨床治験

プログラム / 治験実施施設・治験提携先	FDA指定	開発ステージ			
		前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
<b>COVID-19に起因する急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)</b> イエール大学、コロラド大学		→	→	Phase2 進行中	
<b>筋萎縮性側索硬化症 (ALS)</b> 米国・カナダ 多施設共同	ファストトラック オーファンドラッグ	→	→	→	Phase2b/3 進行中
<b>変性性頸椎脊椎症 (DCM)</b> 英国ケンブリッジ大学・イギリス国立疾病研究センター (NIHR)		→	→	→	Phase3 進行中
<b>化学療法誘発性末梢神経障害 (CIPN)</b> 豪州シドニー大学コンコルド癌センター・Australasia Gastro-Intestinal Trials Group		→	→	Phase2b 進行中	
<b>グリオブラストーマ (GBM 神経膠芽腫)</b> 米国ハーバード大学、ダナ・ファーバー癌センター	オーファンドラッグ	→	→	Phase2 進行中	
<b>覚醒剤依存症</b> 米国オレゴン保健科学大・米国退役軍人省研究開発局 (VA Office of Research and Development)	ファストトラック	→	→	Phase2 進行中	
<b>アルコール使用障害 (AUD)</b> 米国UCLA、米国国立アルコール摂取障害・依存症研究所 (NIAAA)		→	→	Phase2 進行中	
<b>塩素ガス暴露に起因する急性肺損傷</b> 米国生物医学先端研究開発機構 (BARDA)		動物モデル試験進行中 / 臨床治験実施予定なし			

2022年3月1日現在

# CEOコメント

MN-166においては、まず、BARDA（米国生物医学先端研究開発機構）との提携合意のもと、“塩素ガス暴露による急性肺障害”を対象とする2つのProof of Concept（POC）試験（動物モデル試験）が始まりました。また出願中であった幾つかの特許申請に対して、米国・欧州特許庁より承認の通知を受領しました。癌・悪性疾患領域では、ぶどう膜メラノーマ動物モデル試験とグリオブラストーマ動物モデル試験での良好な結果を公表しました。新たな特許承認や、新たな領域での良好な研究データによって、MN-166の可能性を更に広げることが出来たと思います。

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（AUD）を対象とする第II相臨床試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。

MN-166のAUDに対する臨床効果と治療薬候補としてのポテンシャルをあらためて評価の高い医学ジャーナルで示すことが出来ました。

筋委縮性側索硬化症（ALS）を対象とする第II/III相臨床試験は、被験者の組み入れを継続しています。本臨床試験の責任医師であるオスカーソン博士を中心に、ALSの患者さん及びサポートする方々に向けたウェビナーを実施しました。これまでに報告されたMN-166の有望なデータと、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。

MN-001においては、特発性肺線維症（IPF）対象の第II相臨床試験では、主要評価項目であった肺機能検査では治療効果を示すことができませんでした。IPFの急性悪化イベント（呼吸症状の悪化による入院など）はMN-001投与群では1例もみられませんでした。線維化の指標といわれる血中LOXL2は治療前後の変化の平均値はMN-001群では減少、プラセボ群では増加していました。

MN-001が肝臓での中性脂肪合成を抑制する働き、HepG2細胞と用いた研究で明らかになり、そのデータを国際動脈硬化学会とAASLD Liver Meetingの2つの学会でデータを発表しました。

# MN-166 (イブジラスト)

# 進捗トピック 新たな特許 : MN-166 (2021-2022現在)



## 新規特許

- ✓ 2021年7月 : 眼科領域神経変性疾患の治療法として出願中の特許に対し米国特許庁より承認通知を受領。  
当該特許は、少なくとも2039年10月まで有効に存続。
- ✓ 2021年12月 : リルゾールとの併用療法でALSの治療法として出願中の特許に対し欧州特許庁より登録意向通知を受領。当該特許は、少なくとも2035年11月まで有効。
- ✓ 2022年2月 : AUDの治療法で出願中の特許に対し欧州特許庁より登録以降通知を受領。  
少なくとも2037年5月まで有効。

## 論文掲載・学会発表

- ✓ 2021年6月 : AUD対象の第II相治験の良好な結果がNature関連誌「Translational Psychiatry」に掲載。
- ✓ 2021年10月 : CureOM (Ocular Melanoma) 国際科学会議でぶどう膜メラノーマ動物モデル研究データを発表。
- ✓ 2021年11月 : 米国神経腫瘍学会でグリオブラストーマ動物モデル研究データを発表。
- ✓ 2021年12月 : ALS/MND国際シンポジウムでALS 第II/III相治験に関するポスター発表。

## ALSを対象とする第II/III相 臨床治験 (COMBAT-ALS)

### ✓ 北米（米国,カナダ）にて患者組み入れを継続進行中

本治験は無作為化・二重盲検・プラセボ対照・12か月間二重盲検投与期間と6か月のオープンラベル継続投与期間というデザインでMN-166の効果及び安全性を評価します。主要評価項目は12か月時点でのALSFRS-Rスコアのベースラインからの変化・生存期間です。

### ✓ 2021年6月：COMBAT-ALSに関するウェビナーを主催

COMBAT-ALS治験を広く理解してもらう目的で、2021年6月に、ウェビナーを主催しました。本臨床治験の主要責任医師であるビヨーン・オスカーソン博士、ALSを対象とする最初の臨床治験を主導したベンジャミン・ブルックス博士らがMN-166の作用機序、臨床治験の治験デザインその他、最初のALS 第II相治験のデータ等をディスカッションしました。

※本ウェビナーは下記から視聴することが出来ます（日本語字幕付き）

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

### ✓ 2021年12月：ALS/MND国際シンポジウムでCOMBAT-ALSに関してポスター発表

COMBAT-ALS治験の目的、科学的根拠、スタディ・デザイン及び治験参加者（2021年8月時点）の基本背景データ（性別、年齢、人種、発症部位等）について発表しました。

## グリオブラストーマ第I/II相臨床治験

### ✓ グリオブラストーマ対象のMN-166とテモゾロミド併用療法臨床治験のPart 1の安全性レビューを完了

本治験は、グリオブラストーマ患者を対象に実施中のオープンラベルの臨床治験で、MN-166の用量を漸増するPart 1とMN-166投与量が一定のPart 2で構成されています。Part 1では15名の再発性グリオブラストーマ患者さんが登録されました。併用療法で問題となるような安全性シグナルは認められず、MN-166に因る深刻な有害事象（SAE）は報告されませんでした。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し、6 month-Progression Free Survival（6か月無増悪生存）は33%でした。

## COVID-19に伴う急性呼吸窮迫症候群（ARDS）第II相臨床治験

### ✓ 2021年12月末時点で計画の85%の患者の組み入れを完了

本治験は無作為化・二重盲検・プラセボ対照デザインで、各医療施設が規定する標準治療を受けているARDS発症リスクの高いCOVID-19入院患者を対象としています。主要評価項目は、呼吸不全を引き起こさなかった患者の比率、NIAID8ポイントスケールで評価する臨床状態の変化、7日間の治療前後の血中サイトカインの値の変化です。

デルタ株、オミクロン株による再流行の流れを鑑み、患者登録は継続しています。（現時点で90%患者登録）



## BARDA (米国生物医学先端研究開発機構) 提携プロジェクト

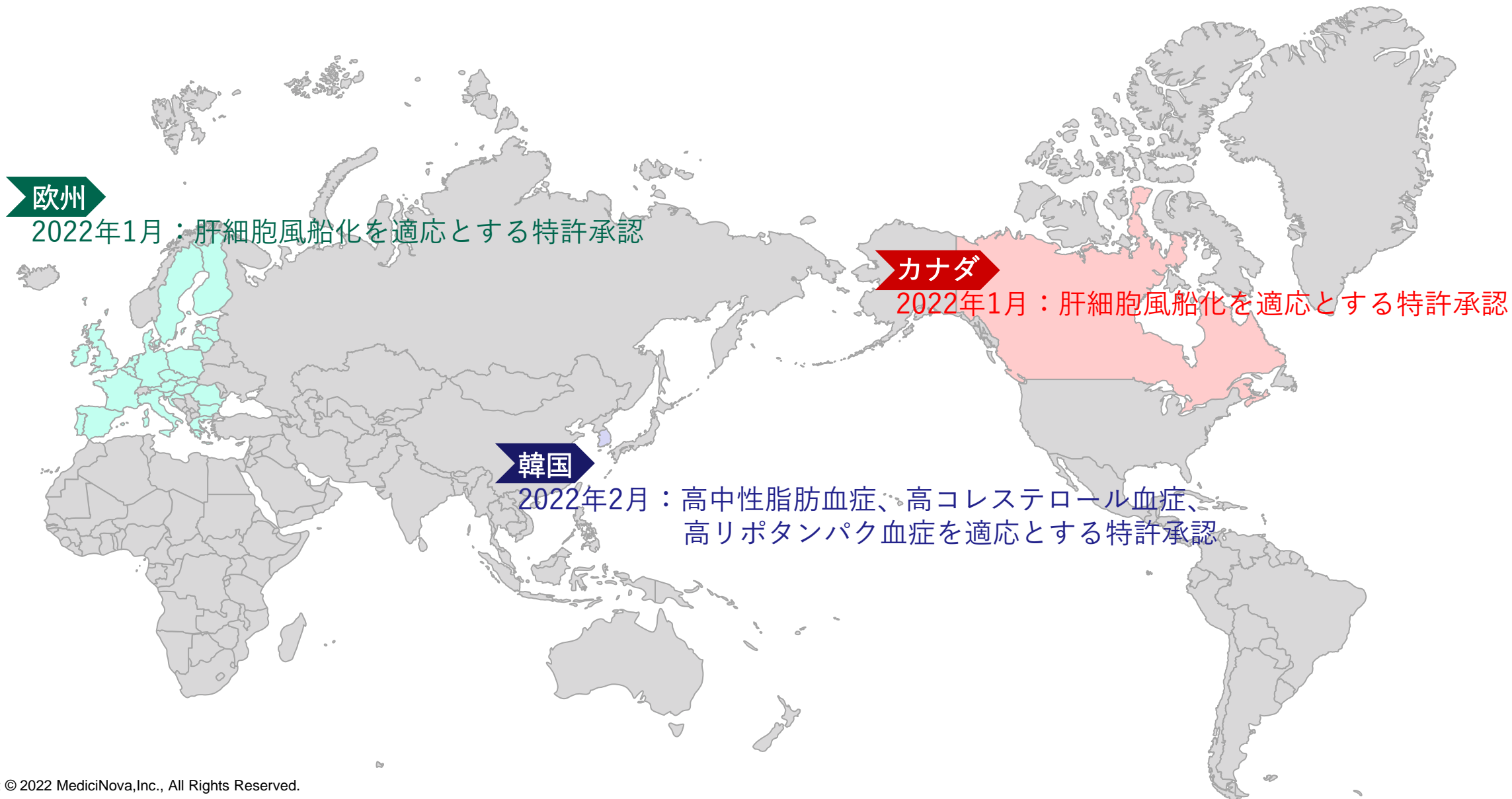
- ✓ 2021年6月：“塩素ガス暴露による急性肺障害”プロジェクトの羊モデル試験を開始、マウスモデル試験の実施提携合意を発表

本プロジェクトは、MN-166を、塩素ガス暴露による急性呼吸窮迫症候群（ARDS）や急性肺損傷（ALI）などの肺障害の治療法（医療対策）候補として評価するBARDAとの共同開発プロジェクトです。

- 羊モデル試験では、静脈注射によるMN-166の治療効果を、肺機能、心肺の血行動態、肺浮腫形成、血管透過性、肺組織病理所見、生存率などの項目で評価します。
- マウスモデル試験では、腹腔内注射によるMN-166の治療効果を、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で評価します。

# MN-001 (タイペルカスト)

# 進捗トピック 新たな特許 : MN-001 (2021-2022現在)



## 新規特許

- ✓ 2022年1月：肝細胞風船化（バルーニング）の治療として出願中の特許に欧州特許庁より承認通知を受領。少なくとも2035年1月まで有効。
- ✓ 2022年1月：肝細胞風船化（バルーニング）の治療として出願中の特許にカナダ特許庁より承認通知を受領。少なくとも2035年1月まで有効。
- ✓ 2022年2月：高中性脂肪、高コレステロール血症などの治療として出願中の特許に対し、韓国特許庁より承認通知を受領。少なくとも2034年7月まで有効。

## 論文掲載・学会発表

- ✓ 2021年10月：国際動脈硬化学会議においてMN-001に関する脂質代謝に関するデータを発表。
- ✓ 2021年11月：AASLD Liver MeetingにおいてMN-001に関する脂質代謝に関するデータを発表。

## 特発性肺線維症 (IPF) 対象の第II相 臨床治験

### ✓ 治験完了、プレリミナリーデータ発表

本治験は、中等度～重症のIPFを対象にした無作為化・二重盲検・プラセボ対照・6か月間二重盲検投与期間と6か月のオープンラベル継続投与期間というデザインです。合計15名（MN-001投与群が10名、プラセボ投与群が5名）の患者さんが登録されました。

主要評価項目である肺機能の変化においては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投与群では、急性増悪イベント（急性悪化による入院）が無かった一方、プラセボ投与群では、1例の急性悪化が認められました。

また、MN-001投与群では線維化の指標である血清LOXL2値の減少が認められた一方、プラセボ投与群では増加が認められました。

MN-001の安全性及び忍容性は良好で、治験薬に因る重症な有害事象（SAE）は報告されませんでした。

## 1 2021年12月期 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

- CEOコメント
- 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。

<b>本 社</b>	4275 Executive Square, Suite 300, La Jolla, California 92037, USA
<b>東京事務所</b>	東京都港区西新橋1-11-5 新橋中央ビル5F
<b>設立年月日</b>	2000年9月26日
<b>資本の部</b>	83,677,084米ドル (約96.6億円) ※2021年12月末時点
<b>上場市場</b>	東証JASDAQ (2005年2月8日上場) 米国NASDAQ (2006年12月7日上場)
<b>事業内容</b>	医薬品の開発



執行役員	役職	主な経歴
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**

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

E-mail : [infojapan@medicinova.com](mailto:infojapan@medicinova.com)

- 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。