

東証グロース  
4571

# 事業計画及び成長可能性 に関する事項

NANO MRNA 株式会社

2023年6月30日（金）



“Robust foundation for  
Drug Discovery Concert”



## Mission

**Robust foundation for  
Drug Discovery Concert**

## Vision

創薬シーズと医療・開発ニーズをつなぐプラットフォームとして、  
mRNA医薬のIP創出とライセンスアウトのサイクルを確立します

# 会社概要

設立	1996年6月14日	
上場市場	東京証券取引所 グロース市場 (2008年3月5日 東証マザーズ上場)	
所在地	本社 東京都中央区京橋 研究所 神奈川県川崎市川崎区殿町	
子会社	株式会社 PrimRNA	
	NanoCarrier US Danville, VA	
資本金	119 百万円 (2023年3月31日現在)	
発行済株式総数	70,151,558 株 (2023年3月31日現在)	
役職員	28名 (2023年3月31日現在)	
取締役	代表取締役社長CEO/CSO	秋 永 士 朗
	会長 社外	松 村 淳 (株式会社ウィズ・パートナーズ 代表取締役社長)
	コーポレート本部長	藤 本 浩 治
	社外	岡 野 光 夫 (東京女子医大 名誉教授・特任教授)
	社外	片 岡 一 則 (東京大学 名誉教授 / iCONM センター長)
	社外	飯 野 智 (株式会社ウィズ・パートナーズ 取締役COO兼Co-CIO)
	社外	長谷川 由 紀 (株式会社ウィズ・パートナーズ ヘルスケア・インベストメント・ヘッド)
監査役		松 山 哲 人
	社外	松 尾 隆 (株式会社オートバックス南日本販売 相談役)
	社外	和 田 成 一 郎 (野村不動産投資顧問株式会社 監査役)

## mRNA医薬品 IP Generator



ビジネスモデルと成長戦略

**mRNA医薬品**  
**IP Generator**  
**(シーズ⇒ 知財創製⇒ 導出)**  
**非臨床段階**

# mRNA医薬品を取り巻く環境



◆ COVID-19ワクチンから、予防ワクチン、治療ワクチン、治療薬に対象が拡大

◆ 製薬企業はmRNA医薬品開発に資金投入

モデルナ2023年のmRNA研究開発費用は約5800億円の予定 (2023年1月のJPMコンフェレンスでの発表資料より)

## mRNA市場予測



## mRNA関連の大きなdeal (2022-2023)

約1,600  
億円

モデルナ、がん治療薬開発CytomXと  
mRNA使用契約締結(2023/1/5)

<https://ir.cytomx.com/news-releases/news-release-details/cytomx-and-moderna-announce-strategic-research-collaboration>

約5,800  
億円

CSL SeqirusがArcturus Therapeuticsと  
ライセンス契約を締結 (2022/11/1)

<https://ir.arcturusrx.com/news-releases/news-release-details/arcturus-announces-collaboration-csl-develop-and-commercialize>

約4,700  
億円

メルクとOrna Therapeuticsが、環状RNA技術に  
基づくワクチンなどの開発で提携 (2022/8/16)

<https://www.merck.com/news/merck-and-orna-therapeutics-collaborate-to-advance-ornas-next-generation-of-rna-technology/>

約1,700  
億円

ファイザーがBeam Therapeuticsと遺伝子治療に  
関する研究契約を締結 (2022/1/10)

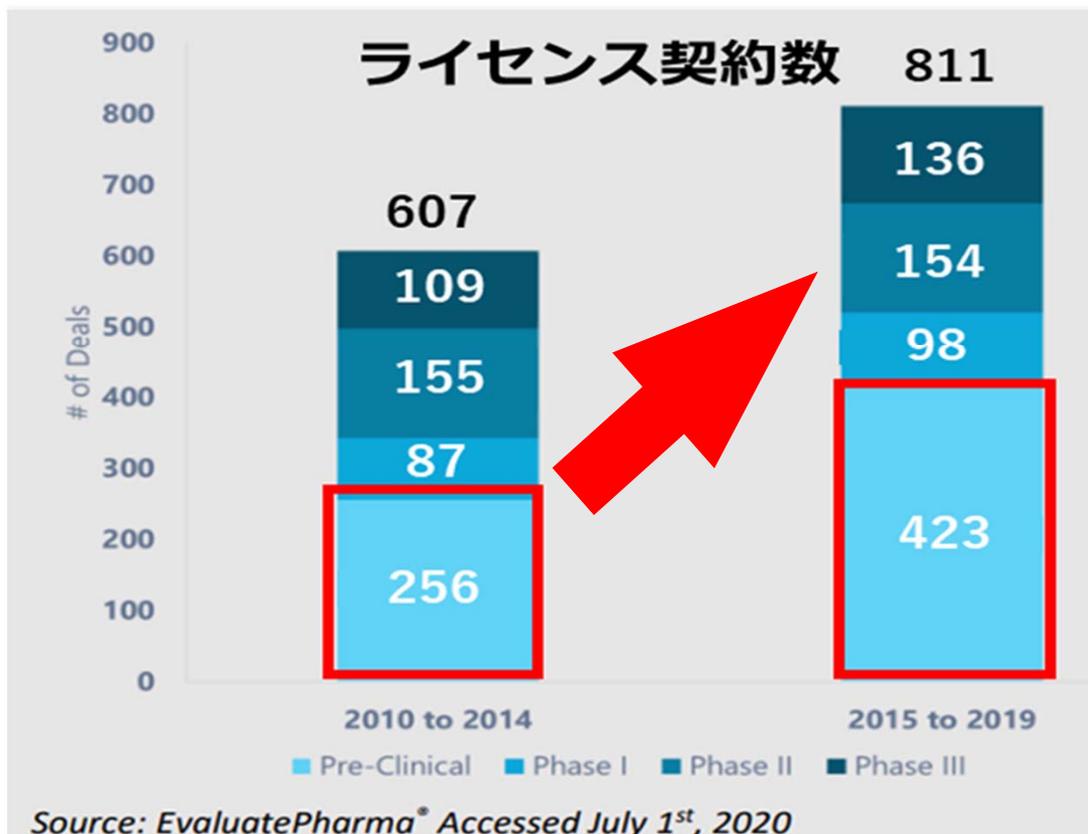
<https://www.pfizer.com/news/press-release/press-release-detail/pfizer-and-beam-enter-exclusive-multi-target-research>

\* 1ドル130円で換算

# グローバルディールの構造変化（非臨床ヘシフト）



## 非臨床ステージの契約数が増加



# mRNA医薬のプレイヤー



## 競合でもありパートナーにもなり得るmRNA医薬の開発企業

モデルナおよびビオンテックの2大企業に欧米の老舗・新興バイオテック企業が挑む構図

- 2<sup>nd</sup> tierまでは既存のIVT mRNA + LNP技術で創薬
- 3<sup>rd</sup> tierにはcircular RNA等の新技术を応用する企業あり
- 4<sup>th</sup> tierではSynthetic Biology、Precision mRNA therapy等多彩な技術を応用

### Two mega mRNA Biotech Companies



### Second Tier mRNA Biotech Companies



### Third Tier mRNA Biotech Companies



### Novel mRNA Biotech Companies



# mRNA創薬実施体制 NEW



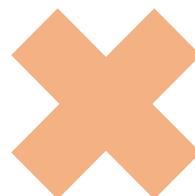
AXCELEADグループ、IPGaiaとの包括提携を  
**資本提携**にアップグレード  
相加ではなく、**相乗効果**

大手製薬企業或いは欧米のバイオベンチャーにも匹敵する  
70-80名規模での  
mRNA医薬品の**研究開発・事業開発体制が確立**

## ナノキャリア

2016年からmRNA創薬を開始

- 知識、経験、知名度
- 創薬シーズ探索力、DDS
- 研究開発資金



### AXCELEADグループ

mRNA創薬の推進エンジン

候補mRNAの開発



ARCALIS

ケーパビリティー

CMC開発、GMP基準の原薬・製剤工場

創薬ソリューション



トラックレコード

IND:100-

NDA: 20-

### IPGaia

mRNA創薬の事業開発エンジン

製薬会社のニーズ探索

事業開発活動（導入/導出）**IPGaia**

IPGメンバーシップ 29社

10社が外資系企業

製薬会社世界売上高TOP15のうち、

IPG会員：7社（47%）

# パートナー企業 **NEW**



創薬ソリューションプロバイダー  
武田薬品から受け継いだグローバルレベルの創薬力



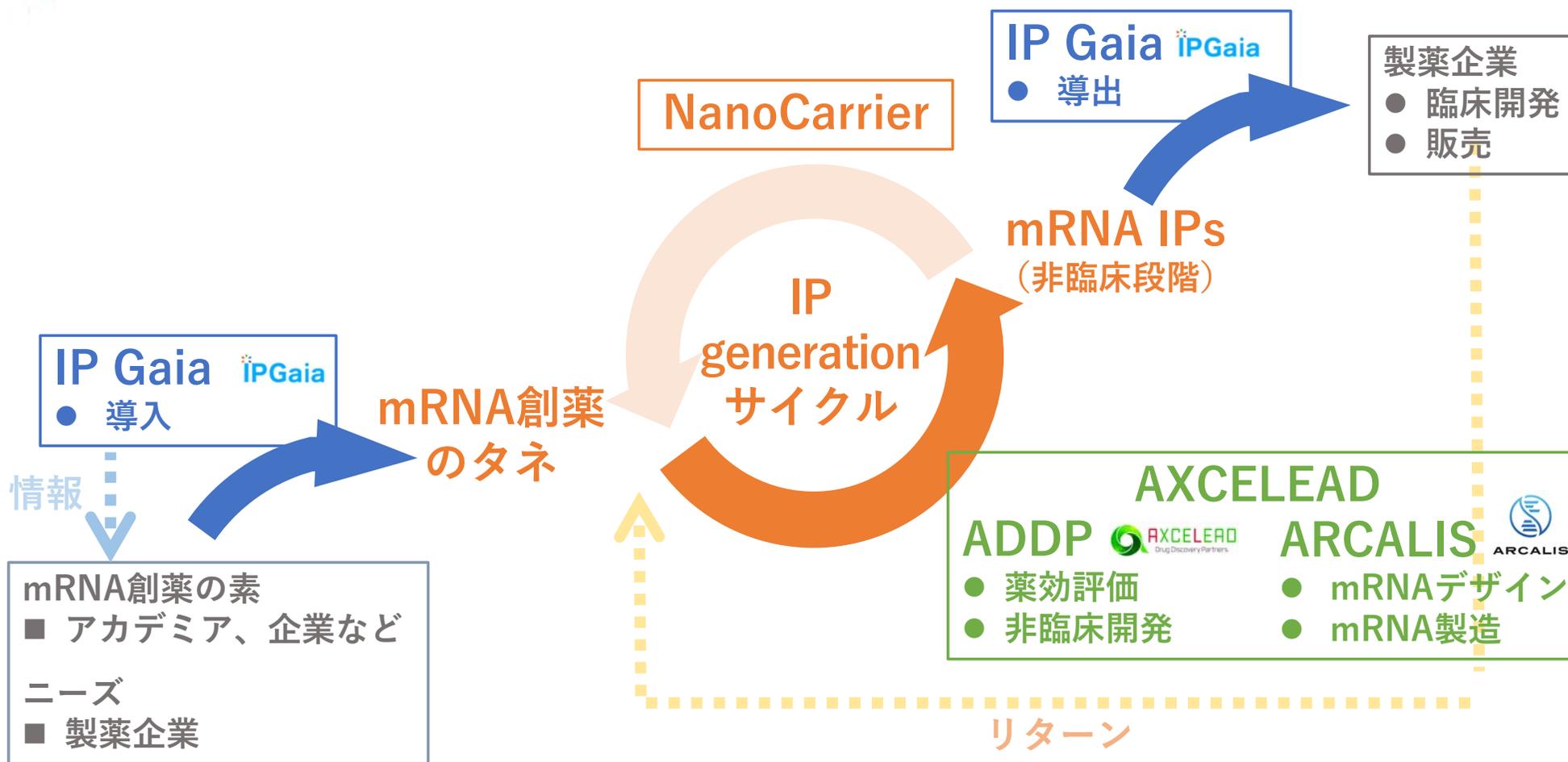
ARCALIS

アクセリードとArcturusの合併会社  
アジア太平洋地域のGMP準拠統合型mRNA医薬品CDMO



創薬のGame-Changer  
非臨床研究アセットを市場に出す速度を加速させるプラットフォーム

# 分業と協業によるmRNA創薬プラットフォーム NEW



ADDP (Axcelead Drug Discovery Partners) : 創薬ソリューションプロバイダー  
Arcalis : mRNA医薬品・ワクチンの創薬支援、受託開発製造事業 (CDMO)  
IP Gaia : 知的財産を製薬会社など医薬品の製造販売業を生業とする企業に導出

# RNA創薬バリューチェーン



## シーズから非臨床に特化

### 研究

ステージごとの医薬品開発成功確率※

69%

※NATURE REVIEWS DRUG DISCOVERY, Vol.20.,203-214, March 2010

### 非臨床試験

臨床（第I～III相）

承認/上市

I相:54% II相:34% III相:70%

91%

#### シード探索

#### オープンイノベーション

- ・ アカデミア
- ・ 非製薬企業
- ・ 製薬企業

自社

#### 開発候補創製

- ・ mRNAデザイン
- ・ 送達法選択
- ・ 製剤化
- ・ 薬効薬理  
(特徴付け/差別化)
- ・ 知財権確保

#### IND申請準備

- ・ 薬効試験  
(信頼性基準適用)
- ・ ADME試験
- ・ GLP安全性試験
- ・ 規制当局相談
- ・ IND申請資料\*
- ・ IND申請

臨床開発リスクの高さを踏まえ、  
後期ステージの開発リスクを  
負わない収益化モデルにシフト

mRNAの創製および非臨床  
開発を行い、開発/販売権を  
他社へライセンスアウト

契約一時金、マイルストーンや  
上市後の販売高に対するロイヤリティを受領

### AXCELEADグループと一体となったmRNA創薬



mRNAの設計・製造: ARCALIS



薬効評価・非臨床試験: ADDP

**NEW** IPGaia IPGメンバーシップを有効活用したmRNA創薬事業開発

mRNA IP Generator

# 収益モデル



開発資金100億円

自社50億円  
パートナー50億円  
(今後獲得する共同研究開発費  
やAMEDなどの競争的資金)

共同研究

- ・製薬企業
- ・非製薬企業
- ・バイオベンチャー
- ・アカデミア

3年後

目標：IP 8件

IP創出までの開発費用  
**1件 4~8億円程度** (1)

ライセンスアウト目標

IP導出  
**1件 30~50億円程度** (2)

マイルストーン収入/ロイヤリティ収入

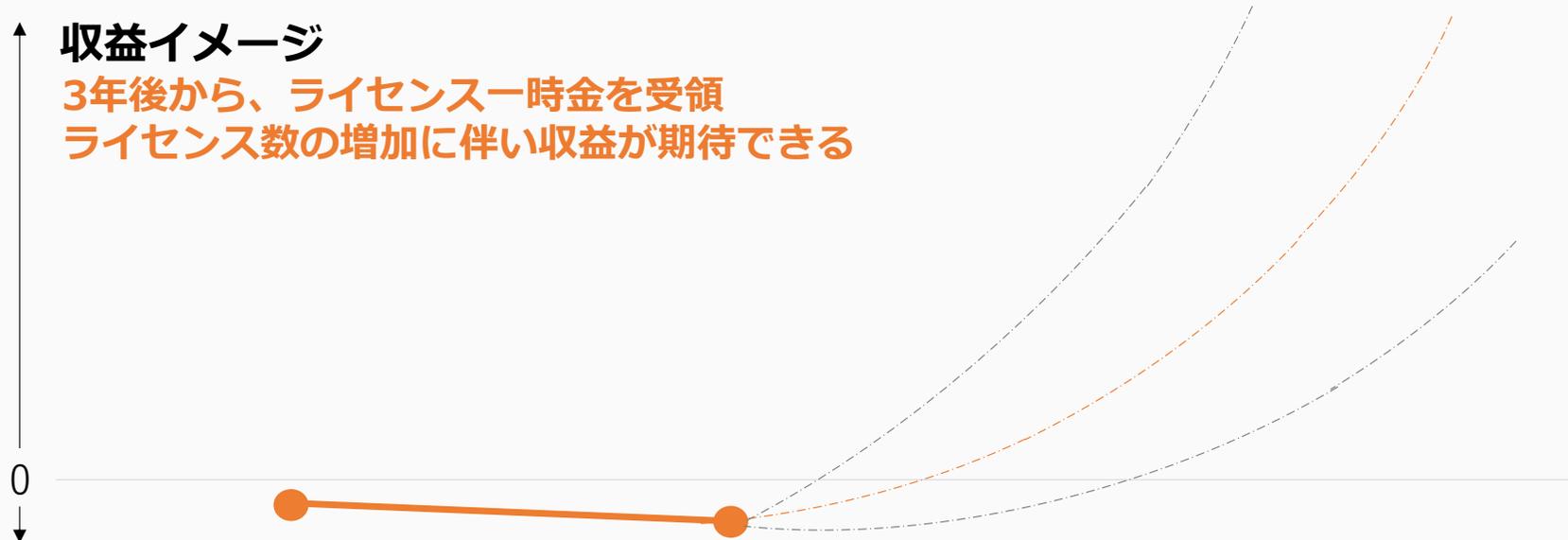
(1) 本数字は低分子創薬のIND申請までの平均開発費6.5億円（参考資料：[Nature Reviews Drug Discovery](#) volume 9, pages203–214 (2010)）をベースに想定(為替レート 130円 (2023.1.23時点) で計算。対象疾患などによっては大きく変更になる可能性があります。

(2) [https://www.fosterrosenblatt.com/images/Maximizing-value-during-pharma\\*In-licensing-transactions-by-FR.pdf](https://www.fosterrosenblatt.com/images/Maximizing-value-during-pharma*In-licensing-transactions-by-FR.pdf) (為替レート 130円 (2023.1.23時点) で計算すると一時金4.4億円程度)

# mRNA創薬ビジネスの収益イメージ



**収益イメージ**  
 3年後から、ライセンス一時金を受領  
 ライセンス数の増加に伴い収益が期待できる



グラフについてはイメージとして表示しており、必ずしも上記イメージ通りに成長することを約束するものではありません。

	2024年3月期 (予定)	2025年3月期 (予定)	2026年3月期 (予定)
実行PJ数 (累計)	既存5 + 3	14	22
IP創出数 (累計)	2	5	8
ライセンスアウトPJ数			2

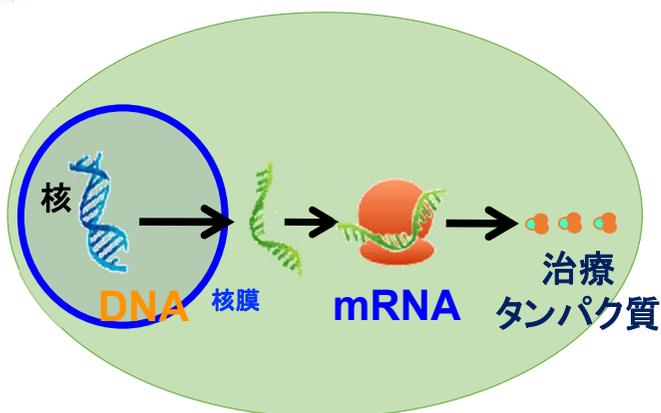
- IP創出割合：3割 ライセンス確率：2割 と想定
- 開発資金の調達金額が想定を下回った場合、当初想定のパイプラインの開発着手ができず、事業計画に影響を及ぼす可能性があります。

# mRNA医薬品 IP Generator



mRNA医薬

# mRNA医薬の定義およびその利点と課題



人工的に製造したmRNA を生体に投与し, mRNA にコードされたタンパク質を体内で発現させることにより疾患の予防もしくは治療を行う医薬品

大岡伸道、井上貴雄：薬剤学, 82 (2), 71-78 (2022)

## mRNA医薬の利点

- 1 遺伝子治療との差別化  
核移行は不要でゲノム挿入のリスクがない
- 2 タンパク質医薬との差別化  
細胞内のタンパク質にも応用可能であり生理的な翻訳後修飾を受ける

## mRNA医薬の課題

- 1 生体内で不安定  
mRNAは生体内でRNA分解酵素の攻撃を受けやすい
- 2 免疫源性を有する  
非修飾mRNAは自然免疫を活性化  
生体への投与にはDDSが必要

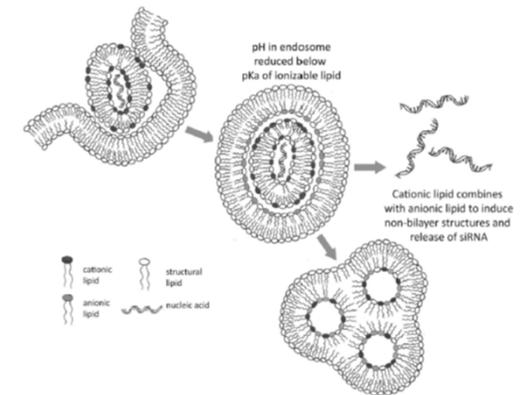
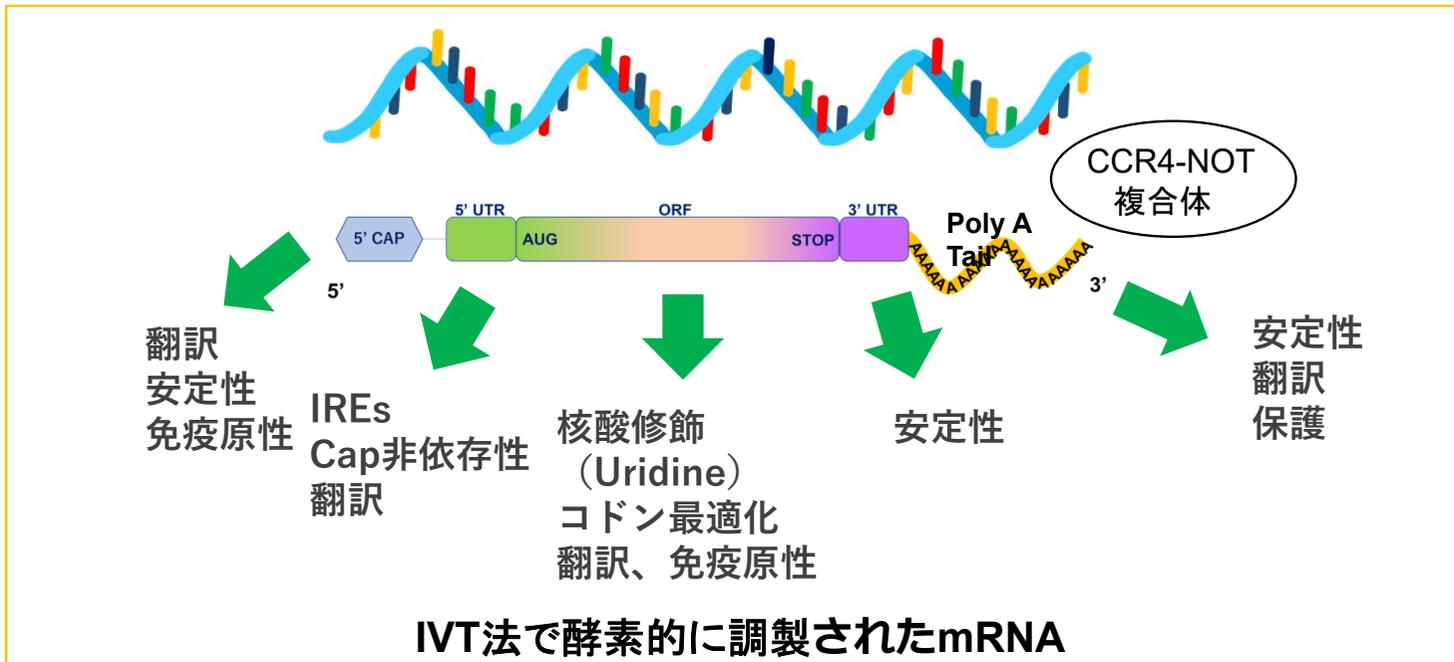
# mRNA医薬の現在地



世界で承認されているmRNA医薬品はCOVID-19 mRNAワクチンの2剤

- コミナティRTU筋注（ファイザー/ビオンテック）
- スパイクバックス筋注（モデルナ）

⇒ 2022年9月には両社共に2価ワクチンの特例承認取得



脂質ナノ粒子(LNP)

mRNAワクチンはIVTで合成されたmRNAと脂質ナノ粒子(LNP)から構成され

感染症のパンデミック期に対応するワクチン技術としては一つの“完成形”

mRNA医薬の開発がLNPとの組み合わせで進んでいる（元来は肝臓ターゲティングDDSで脾臓、リンパ節にも分布）

# mRNA医薬：広範な応用範囲



mRNA医薬は多様な疾患に適応可能

## ワクチン

- I. 感染症予防ワクチン COVID19、Influenza、CMV、RSV、Zika、Deng 等
- II. がんワクチン Shared Antigen或いはNeo antigen
- III. 免疫寛容ワクチン 各種のアレルギー疾患（食物、花粉、MS等）

## 組織再生医療 (Local Tissue Regenerative Medicine)

VEGF-A、IGF-1、BMP-2、HNF4A、BDNF、RUNX1等（増殖因子、転写因子等）

## 遺伝子欠損疾患/希少疾患

酸素欠損症の補充療法（遺伝子治療の代替）

但し、従来型の組み合わせには限界？

- mRNA： より高純度、かつ翻訳効率が高いmRNAの必要性
- 脂質ナノ粒子： DDSなし、或いは副作用の低いDDSの必要性

*With so much potential in cancer and infectious disease, it's reasonable to wonder: What can't RNA technology do? "We don't know yet," Weissman said. "It's a matter of testing." Drew Weissman, M.D., Ph.D., a U Penn Professor Fierce Biotech 2023 JAN 9*

## mRNA医薬品 IP Generator



パイプラインの進捗状況

# mRNA医薬パイプライン (開始準備中を含む)



標的	領域	疾患	シード	非臨床	臨床	パートナー
RUNX1	組織再生	変形性関節症		CiCLE		PrimRNA 
2024 1Q IND申請予定						
A	ワクチン	感染症				
B	ワクチン	免疫疾患				
C	組織再生	眼疾患				
D	組織再生	耳鼻科疾患				
E	ワクチン	がん				

F, G, H, I, J...外部から積極的にシーズを導入する

今後、パイプライン数を倍増し、早期 (IND) アライアンスを目指すビジネスモデルに完全転換

# mRNA医薬以外のパイプライン



品目	対象疾患	非臨床	ph1	ph2	ph3	申請	承認	販売	開発地域	パートナー
コムレクス® 新規耳科用抗菌薬	中耳炎/外耳炎								日本	共同開発 CEOLIA
<b>NEW</b> ※2023年6月8日発売（開発コード：ENT103）										
NC-6100 PRDM14 (siRNA)	乳がん								日本	医師主導治験 がん研有明病院
TUG1 (ASO)	膠芽腫								日本	共同研究 名古屋大学
<b>NEW</b> ※AMED採択 2023年4月～（2020年4月～2023年3月に続き2期連続で採択）										

## 契約



契約日2018年6月14日

製造・販売・プロモーションなどはセオリアファーマが担当し、利益をシェア

# コムレクス®：2023年6月8日 販売開始 NEW



耳鼻科領域のスペシャリティファーマ  
セオリアファーマとの共同開発

## コムレクス® 耳科用液1.5%

(開発コード：ENT103)

**薬価：1584.50 円/瓶 (5mL)**

### コムレクス®耳科用液1.5%

- ✓ 本製品の有効成分であるレボフロキサシンは、オフロキサシンの一方の光学活性体で約2倍の抗菌活性
- ✓ 有効成分含有量は、オフロキサシン耳科用液0.3%\*の5倍

販売名	コムレクス®耳科用液1.5%	
一般的名称	レボフロキサシン耳科用液	
効能又は効果	適応菌種	本剤に感性のブドウ球菌属、レンサ球菌属、肺炎球菌、モラクセラ（ブランハメラ）・カタラーリス、肺炎桿菌、エンテロバクター属、セラチア属、インフルエンザ菌、緑膿菌、アシネトバクター属
	適応症	外耳炎、中耳炎
用法及び用量	通常、1回6～10滴を1日2回点耳する。点耳後は約10分間の耳浴を行う。 なお、症状により適宜回数を増減する。	
製造販売元	セオリアファーマ株式会社	

# mRNA医薬パイプライン：RUNX1 mRNA



変形性膝関節症に対するDMOAD (Disease-modifying osteoarthritis drug)

## RUNX1 mRNA

軟骨・骨の変形に作用し、OAの進行を抑制および疼痛の軽減を実現

### 2023年度 医師主導治験開始予定

2020年12月 AMED CiCLE事業に採択

2021年 4月 株式会社PrimRNA設立

2022年度進捗：

- ・ ラットOAモデルで病態進行および疼痛抑制効果を確認
- ・ 非臨床安全性試験開始
- ・ ポリマーのGMP製造完了

変形性膝関節症：

日本における有病者数は約2,530万人、有症状患者数は約800万人から1,000万人と推定され（出典：厚生労働省「患者調査の概要」）、社会の高齢化が進むため患者の対総人口比はさらに上昇すると予想されている。

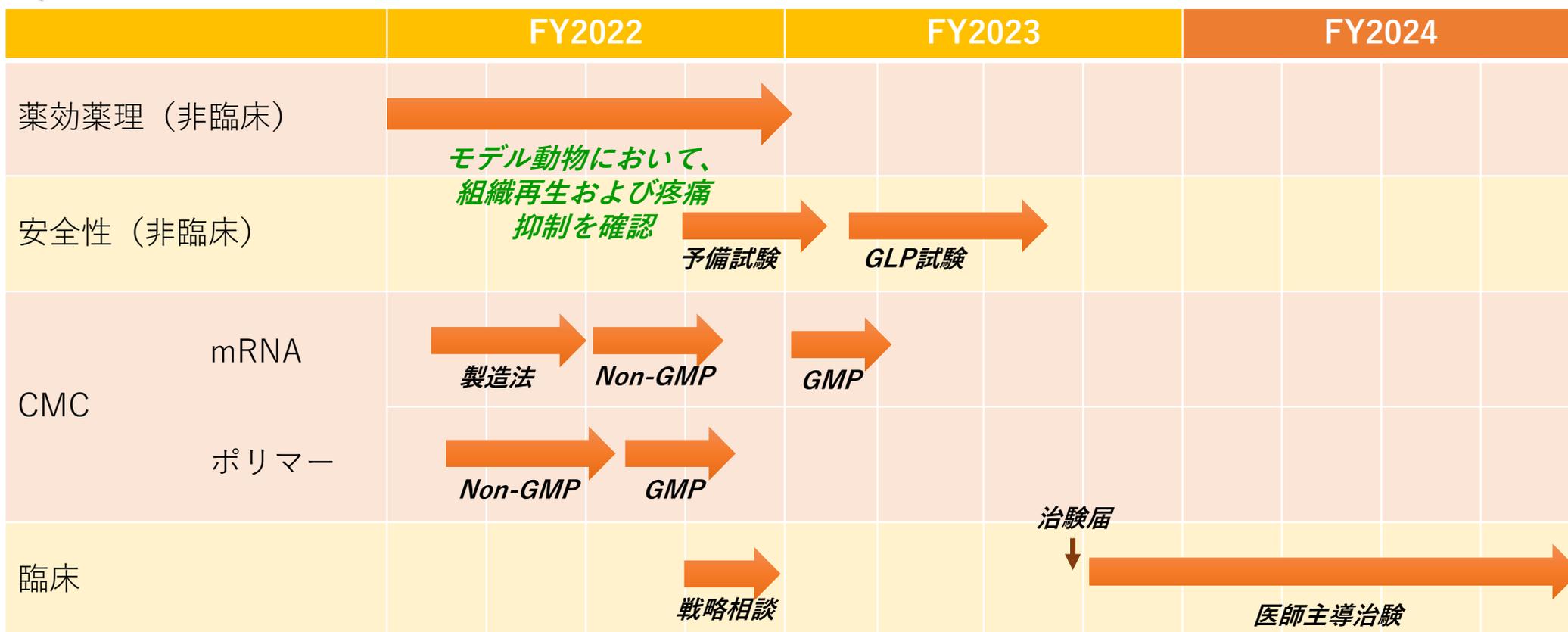
現在の治療法

- ・ 手術または対症療法  
局所注射薬：ヒアルロン酸、ステロイド  
経口薬：アセトアミノフェン、NSAIDs、オピオイド

RUNX1 mRNA

- ・ 軟骨組織の再生を促進、症状の改善または進展を抑制するとともに痛みを軽減するDMOAD
- ・ 適応ステージ  
グレード2以上の膝OA（関節裂隙狭小化を観察）
- ・ 剤型・投与方法  
RUNX1mRNAとポリマーの複合体からなる注射剤  
関節腔内に投与

# RUNX1 mRNA:研究開発計画および進捗



# TUG1 ASO



がん細胞の生存に必須な非翻訳長鎖RNAを  
標的とする膠芽腫治療薬

## TUG1 ASO

がん細胞の異常増殖に伴う複製ストレス  
を増大させることにより細胞死を誘導、  
既存薬と併用可能ながん選択的ASO医薬

**2023年度 医師主導治験開始予定**

### 2022年度進捗：

- ラット・サル非臨床GLP安全性および動態試験完了
- ASOのGMP製造中
- 治験薬概要書および治験実施計画書完成

### 膠芽腫：

- 脳腫瘍の中でもっとも悪性度の高い腫瘍
- 生存期間の中央値は約1年、2年生存率30%以下、5年生存率8%以下
- 日本国内での脳腫瘍の発生頻度は年間に約2万人、そのうち10%強が膠芽腫。（出典：脳腫瘍全国集計調査）

**2020年4月～2023年3月**

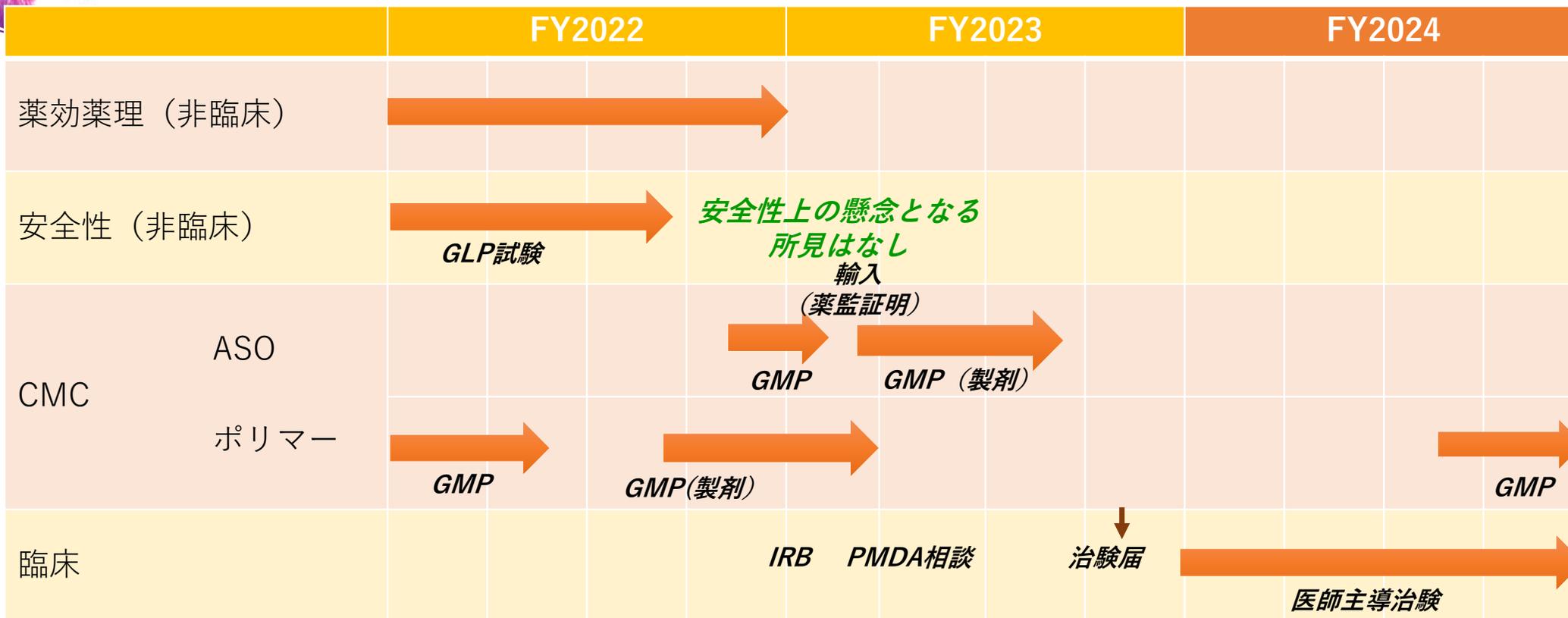
- AMED革新的がん医療実用化研究事業(終了)



**2023年4月～2026年3月 NEW**

- AMED革新的がん医療実用化研究事業に採択  
(名古屋大学・近藤豊先生)

# TUG1 ASO : 研究開発計画および進捗



革新的がん医療実用化研究事業 (AMED) \*

革新的がん医療実用化研究事業 (AMED)\*

\* : 研究開発代表者名古屋大学大学院医学系研究科 近藤豊先生 (ナノキャリアは研究分担機関として参画)

**NEW** 革新的がん医療実用化研究事業に2期連続で採択

# NC-6100 siRNA：第I相臨床試験



乳がんなどに高発現する転写因子RRDM14を  
阻害するsiRNA医薬

## NC-6100 siRNA医薬

治療法が限られ再発率が30%-50%  
と高いトリプルネガティブ乳がんを  
標的とするsiRNA医薬

### トリプルネガティブ乳がん：

女性が患う最も多いがん腫。11人に一人の女性が  
罹患すると言われるが、早期発見により比較的完  
治する。（出典：厚生労働省 人口動態調査）

しかしながら、乳がんの中でも 20~25% のHER2  
陰性のトリプルネガティブ乳がんは治療法が限ら  
れており、再発率が30%-50%と高く、再発後の  
生存率が著しく低下する傾向で、新たな治療法が  
求められる。

2020年9月 医師主導第I相臨床試験開始  
(がん研有明病院)

投与量レベル	SRN-14 (mg/kg)	投与量 (SRN-14/GL2-800 として mg/kg)
0	0.01	0.61
1	開始用量 0.03	1.83
2	0.10	6.1
3	0.30	18.3
4	0.60	36.6

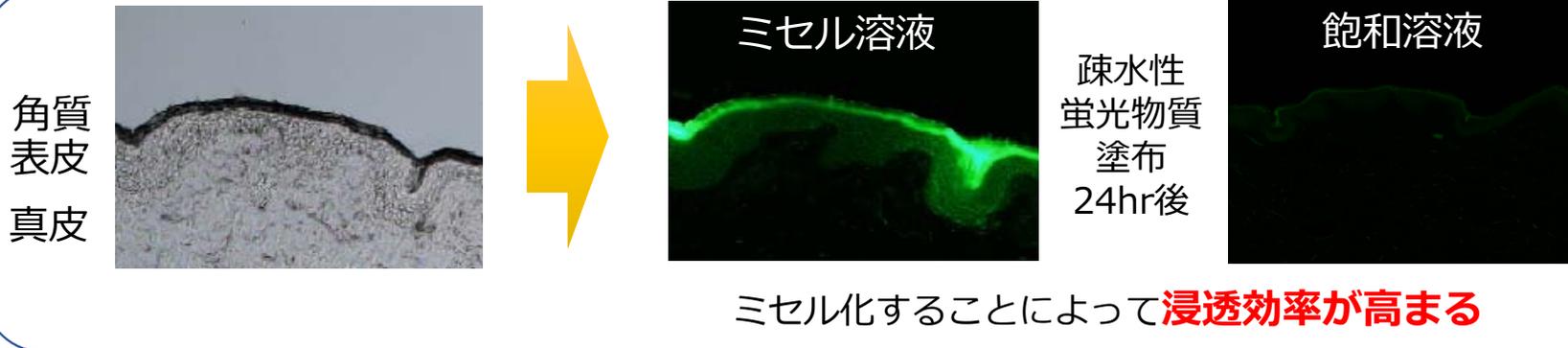
用量漸増法  
(3+3デザイン)

# 販売事業：ミセルの皮膚浸透性に着目した化粧品原料



ミセルの皮膚に対する浸透性

2018年 International Investigative Dermatology



## 医薬部外品承認原料

### 化粧品配合実績例

例) 共同開発：株式会社アルビオン



エクラフチュール  
ECLAFUTUR



ホワイトニング  
イマキュレート エッセンス IDD  
WHITENING IMMACULATE ESSENCE IDD



SCALP CARE  
DEPTH  
TECHNOLOGEIS  
2022年12月販売終了

# 販売事業：新たな治療薬を提供する再生医療



## PRP (多血小板血漿) 治療とは

打撲・捻挫や傷の自然治癒過程には、血液の中に含まれる"血小板"の中に含まれる成長因子が重要な役割を果たしています。PRPには傷んだ組織を元通りに直そうとする自己の組織修復機能を有しているため、PRPを局所に注入し、"早期治癒"や"疼痛の軽減"効果をもたらす治療法として欧米では頻繁に行われています。

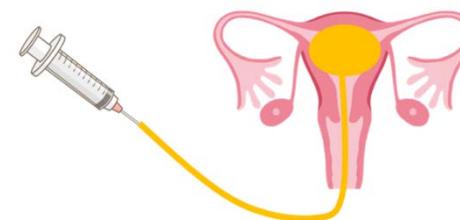
## 難治性不妊症に対するPRP療法成績

対象者：36名（平均年齢 39.7 歳、子宮内膜厚 平均5.86mm）、過去に平均3.3 回の不妊治療を行っており、全例が子宮内膜の菲薄化のために胚移植がキャンセルになった既往者

- ✓ PRP 投与によって、子宮内膜は1.27mm増加した。胚移植を実施できたのは32 例、妊娠が5 例（15.6%）に認められた。
- ✓ 有害事象は認められなかった。

2019.8 第37 回受精着床学会総会にて成績発表（山王病院）

産婦人科PRP研究会会員施設を対象に  
Acti-PRP の販売活動を実施



## mRNA医薬品 IP Generator



2023年3月期 通期決算概要  
2024年3月期 事業計画

# 2023年3月期 損益計算書 NEW



(単位：百万円)	2022年3月期 単体実績 (累計)	2023年3月期 連結予想 A (累計)	2023年3月期 連結実績 B (累計)	増減 B - A
売上高	264	184	202	18
売上原価、販売費及び一般管理費	2,325	1,724	1,448	(276)
内：研究開発費	1,923	1,286	1,120	(166)
営業（損失）利益	(2,061)	(1,540)	(1,246)	294
営業外収益/（費用）ネット	135	77	141	64
経常（損失）利益	(1,925)	(1,463)	(1,104)	359
当期（純損失）純利益	(1,881)	(1,471)	(1,310)	161

※当連結会計年度より連結決算に移行したため、前期末の実績は、単体数値を表示しております。

**期初予想からの売上増加要因**  
化粧品材料供給収入の増加など

**期初予想からの研究開発費減少要因**  
NC-6004、VB-111、およびNC-6300の開発終了/中止に伴う外注費の減少

# 2023年3月期 貸借対照表 NEW



(単位：百万円)	2022年3月31日 (A)	2023年3月31日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	5,945	4,443	(1,502)
その他流動資産	359	225	(134)
固定資産	832	1,115	283
資産合計	7,136	5,784	(1,352)
転換社債型新株予約権付社債	1,150	1,108	(42)
その他負債	419	422	3
純資産	5,566	4,253	(1,313)
資本金及び資本剰余金	10,297	5,618	(4,679)
利益剰余金	(4,717)	(1,371)	3,346
その他有価証券評価差額金	(43)	4	47
新株予約権	30	2	(28)
負債・純資産合計	7,136	5,784	(1,352)

※当連結会計年度より連結決算に移行したため、前期末の資産、負債、純資産は単体数値を表示しております。

# 実施中の資金調達の概要（リファイナンス及び新規発行）



2023年1月26日発表

## mRNA医薬の研究開発を推進するための資金として

### ➤ 第6回無担保転換社債型新株予約権付社債

予約権総数	:	39個
潜在株式数	:	普通株式 7,200,754株
転換価額	:	154円
資金調達額	:	0円（第5回無担保転換社債型新株予約権付社債39個（額面11.2億円）を出資） ⇒ 第5回無担保転換社債型新株予約権付社債のリファイナンス
資金使途変更	:	mRNA医薬品開発の推進（950百万円） TUG 1 医薬の治験・導出活動費用（200百万円）

割り当て先：  
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合  
（株式会社ウイズ・パートナーズ）

### ➤ 第20回新株予約権

予約権数	:	102,642個
潜在株式数	:	普通株式 10,264,200株
行使価額	:	154円
現在までの調達額	:	発行分0円（第5回無担保転換社債型新株予約権付社債1個（額面28百万円）を出資） ⇒ <u>これにより第5回無担保転換社債型新株予約権付社債の残存は0</u> 行使分0円（全て行使された場合の調達額1,580百万円）
支出予定期間	:	～2025年 12 月
資金使途	:	mRNA医薬品開発の推進（910百万円） TUG 1 医薬の治験・導出活動費用（155百万円） 革新的mRNA技術獲得及びM&A（500百万円）

割り当て先：  
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合  
（株式会社ウイズ・パートナーズ）

# 実施中の資金調達の概要（新規発行）<sup>NEW</sup>



2023年5月26日発表

## 関係強化による新規mRNA医薬の研究開発を推進するための資金として

### ➤ 第21回新株予約権

予約権数 : 23,585個  
潜在株式数 : 普通株式 2,358,500株  
行使価額 : 212円  
現在までの調達額 : 発行分 6,839,650円  
行使分0円（全て行使された場合の調達額 500百万円）  
支出予定期間 : ~2028年 6月  
資金使途 : mRNA医薬品開発の推進 (500百万円)

割り当て先 : IPガイア

予約権数 : 23,585個  
潜在株式数 : 普通株式 2,358,500株  
行使価額 : 212円  
現在までの調達額 : 発行分 6,839,650円  
行使分0円（全て行使された場合の調達額 500百万円）  
支出予定期間 : ~2028年 6月  
資金使途 : mRNA医薬品開発の推進 (500百万円)

割り当て先 : アクセリード

# 調達資金充当に関する説明

※2023年5月26日時点 **NEW**



資金調達	調達額	用途	充当額	使用期間
第17回新株予約権	1,915百万円	・ 基礎研究・開発パイプラインの研究開発費用	1,915百万円	2020年1月 ～2022年12月
第19回新株予約権	0円	・ 核酸医薬の推進 ・ M&Aや提携の推進	2023年2月13日 消却	2021年5月 ～2023年12月
第5回無担保転換社債型 新株予約権付社債	1,150百万円	・ mRNA医薬品開発の推進	20百万円	2023年2月 ～2025年12月
		・ TUG1医薬の治験・導出活動費用	20百万円	
第6回無担保転換社債型 新株予約権付社債	0円	・ mRNA医薬品開発の推進 ・ TUG1医薬の治験・導出活動費用	0円	2023年2月 ～2025年12月
第20回新株予約権	0円	・ mRNA医薬品開発の推進 ・ TUG1医薬の治験・導出活動費用 ・ 革新的mRNA技術獲得及びM&A	0円	2023年2月 ～2025年12月
第21回新株予約権	0円	・ mRNA医薬品開発の推進	0円	2024年6月 ～2028年6月

# 事業計画(2024年3月期)



(単位：百万円)	2023年3月期実績 (連結)	2024年3月期レンジ予想 (連結)	増減
売上高	202	143	(59)
売上原価、販売費及び一般管理費	1,448	1,186~1,526	(262)~78
内：研究開発費	1,120	816~1,150	(304)~30
営業（損失）利益	(1,246)	(1,042)~(1,382)	204~(136)
経常（損失）利益	(1,104)	(995)~(1,335)	109~(231)
親会社に帰属する当期（純損失）純利益	(1,310)	(1,029)~(1,369)	281~(59)

※2024年3月期の業績予想につきましては、レンジ形式により表示をしております。

**NEW**

## 2024年3月期 売上高の内容

- 化粧品材料供給、共同研究収入等

主な売上構成比	2023年3月期実績	2024年3月期予想
商品/原料等の販売	60%	77%
共同研究契約	40%	23%

## 2024年3月期 研究開発費の内容

- mRNA創薬ビジネスの本格稼働
- 医師主導治験に向けた活動
  - RUNX1 mRNA (AMED CiCLE)
  - TUG1 ASO (AMED 革新がん)

主な研究開発費構成比	2023年3月期実績	2024年3月期予想 (下限値)
mRNAパイプライン	10%	38%
mRNA以外の核酸パイプライン	18%	25%
ENT103	3%	4%
NC-6004	32%	0%

# 成長戦略

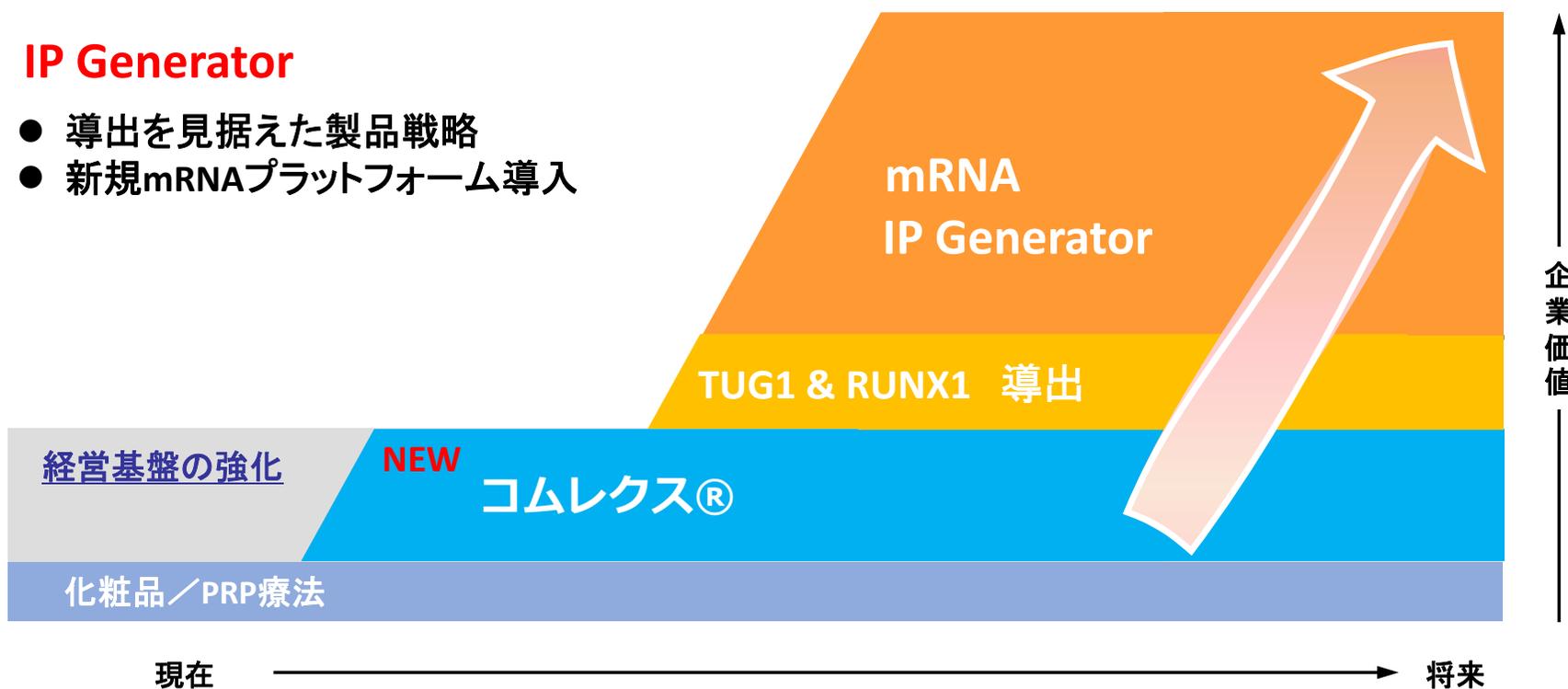


## Transform to RNA drug discovery company

mRNA医薬を中心に研究開発を推進し  
ファーマへの早期導出を目指す企業へ

### IP Generator

- 導出を見据えた製品戦略
- 新規mRNAプラットフォーム導入



## mRNA医薬品 IP Generator



## 事業のリスク

# 中長期にわたる影響度の高い主なリスクへの対応策



## 主なリスク

**パイプライン開発** 新規パイプライン創製に関するリスク  
創薬シードが順調に新規パイプラインへ推移しない可能性

非臨床ステージに進捗したパイプラインに関するリスク  
開発が順調に進捗しない可能性、および、当社が意図しない提携解消、ライセンスアウトに至らない、又はライセンスアウトできたとしても当社の望む契約条件に満たない等の可能性

**資金調達** ライセンス導出までには複数年の研究開発投資を要し、定常に達するまで営業キャッシュ・フローがマイナスの状態が継続

研究開発が計画通りに進捗する保証はないため、研究開発の遅延等が生じ、研究開発資金に不足が予想された場合には新たな資金調達が必要

## リスク対応策

創薬シードは、オープンイノベーションを最大限に活用し幅広いソースから質の高いシードを定常的に確保することでリスク低減に努めております。また、シードから新規パイプライン創製に至る確率を向上させるため、共同研究や他社およびアカデミアからの技術導入および提携やM&A等による技術導入を柔軟に行います。また、製薬企業のニーズを協業関係にある企業とともに十分に把握し、需要の高いシードから優先的に研究開発を進めております。

ポートフォリオマネジメントの徹底による経営資源の効率的投入、プロジェクト管理、医療ニーズなどの変化に敏感に対応した方針および優先順位の見直し、初期段階からの提携先探索等によりリスクの低減に努めております。

上記の効率的なプロジェクト運営以外に、公的な競争資金等の積極活用も行っております。また、資金調達が必要となった場合に備え、効果的かつ効率的な資金調達手段を常に検討しております。

※ その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。



ありがとうございました

本資料は通期決算発表後（6月）および事業計画を見直した際に最新の内容を開示いたします。

本資料には、当社の事業及び展望に関する将来見通しが含まれておりますが、現時点で入手可能な情報に基づき当社が判断した予想であり、潜在的なリスクや不確実性が含まれています。そのため、様々な要因の変化により実際の業績は記述している予想とは大きく異なる結果となる可能性があることを御承知おき下さい。

また、医薬品（開発品）に関する情報が含まれていますが、それらは宣伝・広告や医学的なアドバイスを目的とするものではありません。

NANO MRNA株式会社 コーポレートコミュニケーション部 03-3241-0553