

2023年12月期 第3四半期 決算補足説明資料

MediciNova, Inc.

(東証スタンダード：4875 / NASDAQ：MNOV)

2023年11月10日

1 2023年12月期 第3四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗ハイライト&補足説明

3 Appendix

1 2023年12月期 第3四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗ハイライト&補足説明

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 / 2023年10月31日時点の仲値1ドル=149.51円で換算

	FY22/3Q (①)	FY23/3Q (②)	増減額 (②-①)	補足
営業収益	0 (0)	1,000,000 (149,510)	1,000,000 (149,510)	導出済AAVベクター遺伝子治療薬に関するマイルストーン収入を計上
研究開発費・特許費	7,131,168 (1,066,180)	4,007,117 (599,104)	△ 3,124,051 (△ 467,076)	MN-166及びMN-221に係る製造費用が減少。また、BARDAから開発費受領により開発費相殺。
一般管理費	4,266,246 (637,846)	4,403,044 (658,299)	136,798 (20,452)	業績連動型ストック・オプション費用が増加
営業利益	△ 11,397,414 (△ 1,704,027)	△ 7,410,161 (△ 1,107,893)	3,987,253 (596,134)	
その他費用	△ 52,554 (△ 7,857)	△ 500,670 (△ 74,855)	△ 448,116 (△ 66,997)	1Q中において預金の預入期間変更に伴う違約金を計上
受取利息	382,369 (57,167)	1,398,400 (209,074)	1,016,031 (151,906)	米国内の継続的な金利上昇に伴い、預金の受取利息が増加
当社株主に帰属する 当期純利益	△ 11,067,599 (△ 1,654,716)	△ 6,512,431 (△ 973,673)	4,555,168 (681,043)	

連結業績概要②／貸借対照表（要約）

	22／12月末	23／9月末	増減額
資産の部			
流動資産			
現金及び現金同等物	18,505,493	51,507,361	33,001,868
前払費用・その他流動資産	499,403	488,786	△ 10,617
仕掛研究開発費	4,800,000	4,800,000	—
固定資産			
長期性預金	39,982,213	—	△ 39,982,213
のれん	9,600,240	9,600,240	—
有形固定資産	45,269	51,241	5,972
使用権資産	629,495	617,866	△ 11,629
その他長期資産	92,792	71,067	△ 21,725
資産合計	74,154,905	68,136,561	△ 6,018,344

(単位：米ドル)

少なくとも
2024年末までの事業資金を確保

米国での金融不安を考慮し、長期性預金は1Q期間中に解約を実施

連結業績概要③／貸借対照表（要約）

	22／12月末	23／9月末	増減額
(単位：米ドル)			
負債の部			
流動負債			
買掛債務	424,646	736,896	312,250
未払債務・その他流動負債	2,605,308	1,859,389	△ 745,919
オペレーティング・リース負債	157,505	205,394	47,889
固定負債			
繰延税金負債	201,792	201,792	—
その他長期負債	523,619	463,838	△ 59,781
負債合計	3,912,870	3,467,309	△ 445,561
純資産の部			
普通株式 額面0.001米ドル	49,046	49,046	—
払込剰余金	477,438,451	478,386,566	948,115
その他包括損失累計額	△ 115,285	△ 123,752	△ 8,467
累積欠損	△ 407,130,177	△ 413,642,608	△ 6,512,431
純資本合計	70,242,035	64,669,252	△ 5,572,783
負債・純資産合計	74,154,905	68,136,561	△ 6,018,344

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 / 2023年10月31日時点の仲値1ドル=149.51円で換算

	FY22/3Q (①)	FY23/3Q (②)
営業活動による キャッシュ・フロー	△ 8,904,519 (△ 1,331,314)	△ 6,931,978 (△ 1,036,400)
投資活動による キャッシュ・フロー	△ 10,000,000 (1,495,100)	39,907,694 (5,966,599)
財務活動による キャッシュ・フロー	7,920 (1,184)	0 (0)
現金増減額	△ 18,923,691 (△ 2,829,281)	33,001,868 (4,934,109)

長期性預金を解約したことによるプラス

1 2023年12月期 第3四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗ハイライト&補足説明

3 Appendix

プログラム	FDA指定	開発ステージ			
		前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
MN-166 イブジラスト	新型コロナ感染後遺症 (Long-COVID)				Phase2/3 進行中
	筋萎縮性側索硬化症 (ALS)	ファストトラック オーファンドラッグ			Phase2b/3 進行中
	変性性頸椎脊椎症 (DCM)				Phase2/3 進行中
	化学療法誘発性末梢神経障害 (CIPN)			Phase2b 進行中	
	グリオブラストーマ (神経膠芽腫)	オーファンドラッグ		Phase2 進行中 (患者登録完了)	
	覚醒剤依存症	ファストトラック		Phase2 進行中	
	アルコール使用障害 (AUD)			Phase2 進行中	
	塩素ガス暴露に起因する急性肺損傷		最終報告書提出完了 / 結果速報公表済		

MN-001 タイペルカスト	糖尿病性脂質異常症 非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD)	ファストトラック			Phase2 進行中	
-------------------	------------------------------------	----------	--	--	---------------	--

プログラム	導出先/開発主体	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
SAR444836 AAVベクター 遺伝子治療薬	フェニルケトン尿症	Genzyme Corporation (Sanofi S.A.グループ)		 Phase1/2 進行中		

【参考】

2023年10月27日公表

「遺伝子治療基盤技術の導出先 Sanofi S.A.による AAV を用いたフェニルケトン尿症を対象とする遺伝子治療の臨床治験開始に関するお知らせ」



米国生物医学先端研究開発機構（BARDA）との塩素ガス暴露による肺障害に対する共同開発プロジェクト結果発表（2023年9月28日）

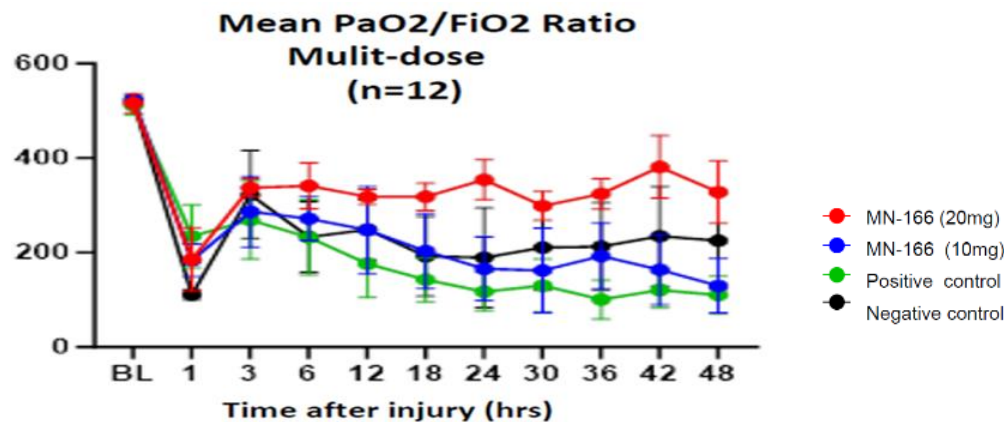
塩素ガス暴露による急性呼吸窮迫症候群（ARDS）や急性肺障害（ALI）に対するMN-166の有効性について検証することを目的として2つの動物（ヒツジ・マウス）モデルスタディを実施。

ヒツジモデルスタディ：塩素ガスの暴露により中等度ALIを誘導後に治療を開始、被検動物は集中治療室で48時間にわたり管理・観察。

治療群は、①高用量のMN-166 ②低用量のMN-166 ③ポジティブ対象 ④ネガティブ対象の4群で、治療効果として生存率、肺機能、心臓・循環機能、血液・代謝機能を継続的に測定。

結果：複数回投与スタディにおいて高用量のMN-166群は、他の3群と比べて高い肺機能を維持することが確認された。

また、他の3群ではスタディ完了前に死亡例が確認されたが、高用量のMN-166群では全ての被検動物がスタディ完了まで生存した。



次頁に続く

米国生物医学先端研究開発機構（BARDA）との塩素ガス暴露による肺障害に対する共同開発プロジェクト結果発表（2023年9月28日）

塩素ガス暴露による急性呼吸窮迫症候群（ARDS）や急性肺障害（ALI）に対するMN-166の有効性について検証することを目的として2つの動物（ヒツジ・マウス）モデルスタディを実施。

マウスモデルスタディ：塩素ガスの暴露によるALIモデルの実現可能性を評価する予備試験に引き続き、治療効果を評価する有効性試験を実施予定。

予備試験：「7日後までに半分のマウスが死に至る」塩素ガス暴露（ガス濃度×暴露時間の組み合わせ）を同定する試験。

有効性試験：「7日後までに半分のマウスが死に至る」とされる塩素ガスに暴露後、MN-166（高用量、中用量、低用量）、ポジティブ対照やネガティブ対照薬で治療し、生存率を評価する試験。

結果：最初の予備試験で同定されたガス暴露（濃度×時間）を用いて行われた有効性試験では治療開始以前から想定以上の死亡動物が確認された。改めて実施された予備試験で得られたガス暴露は、最初の予備試験結果と大きな乖離があった。マウスでは塩素ガス誘発性ALIモデル自体が確立できず、BARDAとの協議によりマウススタディは中止された。

【参照】2023年9月28日公表

「米国生物医学先端研究開発機構（BARDA）との提携共同開発による塩素ガス暴露による肺障害に対する医学的対策としてのMN-166（イブジラスト）の研究結果に関するお知らせ」

2023年10月3日公表

「ご質問・ご意見に対する回答」：9月28日公表のプレスリリースに関する補足説明

導出済みAAVベクター技術による臨床開発進捗に伴いSanofi S.A.よりマイルストーン受領を発表（2023年10月5日）

- 当社グループ会社Avigen.incからSanofi S.A.グループ会社Genzyme Corporationに譲渡されたAAV（Adeno-Associated Virus；アデノ随伴ウイルス）ベクター技術を用いる遺伝子治療プロジェクトにおいて臨床開発マイルストーンフィーを達成したことに基づき受領。
- 本プロジェクトは、AAVベクターを介した遺伝子治療薬SAR444836を用いて行われる成人フェニルケトン尿症（PKU）を適応とする臨床開発プロジェクトで、本年第3四半期にフェーズ1/2臨床試験がスタート。（NCT05972629）
- フェニルケトン尿症は、先天性遺伝疾患の1つ。肉、卵、チーズやナッツ類などのタンパク質を含む多くの食品に含まれる必須アミノ酸の1つフェニルアラニン代謝する酵素の異常により、フェニルアラニンがうまく代謝されずに体内に蓄積することで精神発達の異常、知的障害、けいれん発作、精神障害などの深刻な症状引き起こす。現在の治療法は、フェニルアラニン摂取を抑える食事療法、それによって不足する他の必須アミノ酸の補充療法治療だが、注意深い食事療法は生涯にわたって必要。
- 当該臨床試験は成人フェニルケトン尿症患者を対象とし、治験参加者は、SAR444836の静脈注射を1回投与される。合計32名の患者登録を予定。

【参考】2023年10月5日公表
「Sanofi S.A.からのマイルストーン受領に関するお知らせ」

2023年10月27日公表
「遺伝子治療基盤技術の導出先Sanofi S.A.によるAAVを用いたフェニルケトン尿症を対象とする遺伝子治療の臨床治験開始に関するお知らせ」

1 2023年12月期 第3四半期 連結業績概要

2 研究開発プロジェクト 進捗ハイライト&補足説明

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	64,669,252米ドル（約96.7億円）※2023年9月末時点
上 場 市 場	東証スタンダード（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	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 ロサンジェルス小児病院、ロマリンド大学小児病院
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
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
ジェイソン・クルーガー	CFO (最高財務責任者)	Signature Analytics, Inc. 最高経営責任者 Deloitte & Touche

(独立) 取締役		
キャロリン・ビーバー	取締役、監査委員 (委員長)、 報酬委員 (委員長)、指名・統治委員	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、指名・統治委員 (委員長)、 監査委員、報酬委員	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
ニコール・ルメロン	取締役、監査委員、報酬委員、 指名・統治委員	NVキャピタル.マネージング・パートナー InMed Pharmaceuticals, Inc. 取締役 GeoVax Labs, Inc. 取締役

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

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

E-mail : 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。
- 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。