



株式会社メドレックス

(証券コード 4586)

事業計画及び成長可能性に関する事項

2024年2月9日

会社概要



株式会社メドレックス (Medrx Co.,Ltd.)

証券コード

4586 (東証グロース)

設立

2002年1月

代表者

代表取締役社長 松村 米浩

本社所在地

香川県東かがわ市

従業員数

22名 (2023年12月末時点・連結ベース)

グループ会社

MEDRx USA INC. (持株比率100%:本社 米国カリフォルニア州)

経営理念

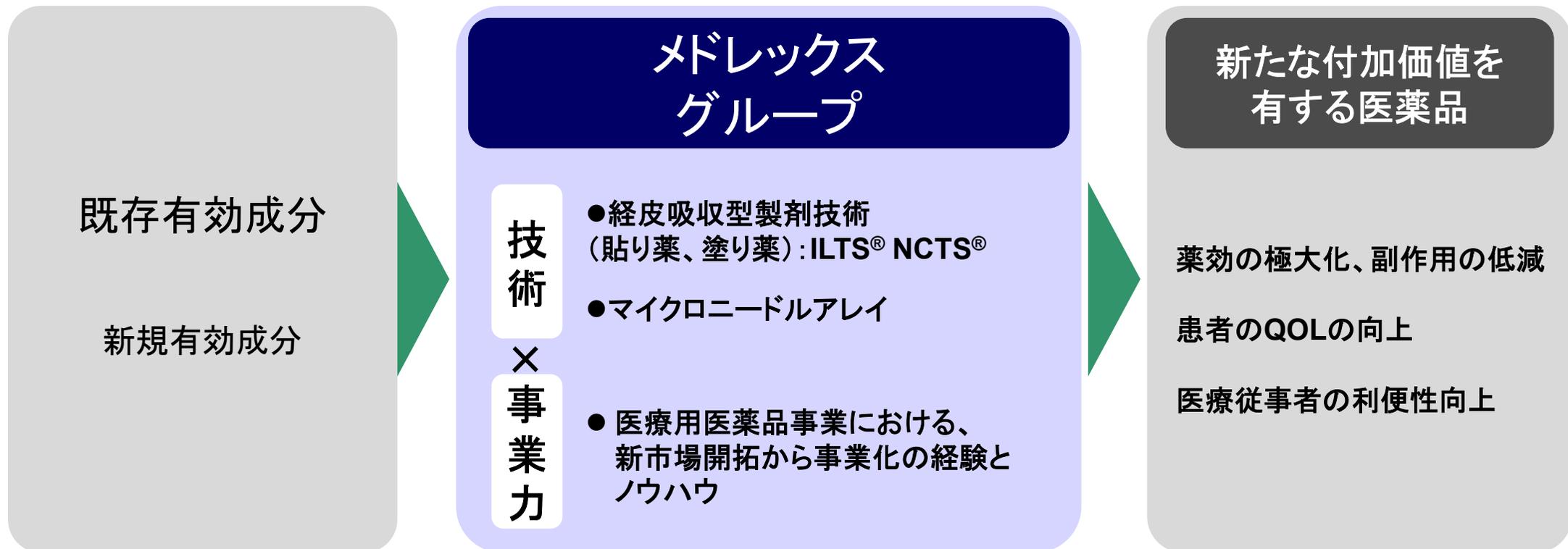


近年の生活の多様化、そして今まで経験したことのない未曾有の高齢化社会の到来を考えると、時代に即応した医薬品剤型の開発が社会にとって必要不可欠であると、メドレックスでは考えています。

メドレックスは、経皮吸収技術を始めとする製剤技術をもって、画期的新薬を開発し、全世界の人々の健康とQOLの向上に貢献します。

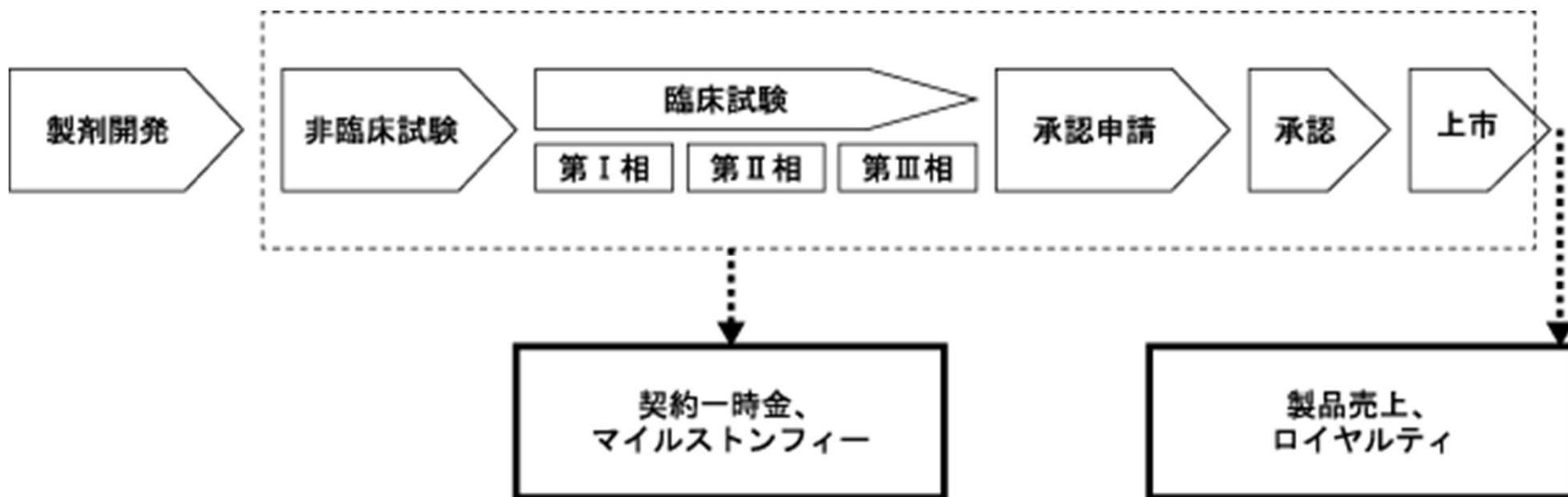
事業内容：製剤技術を基軸とした創薬事業

- 主に、既存の経口薬・注射薬の有効成分を**貼り薬・塗り薬**として開発
 - 新規有効成分の発見/創出から取り組む創薬事業と比して、**低リスク**



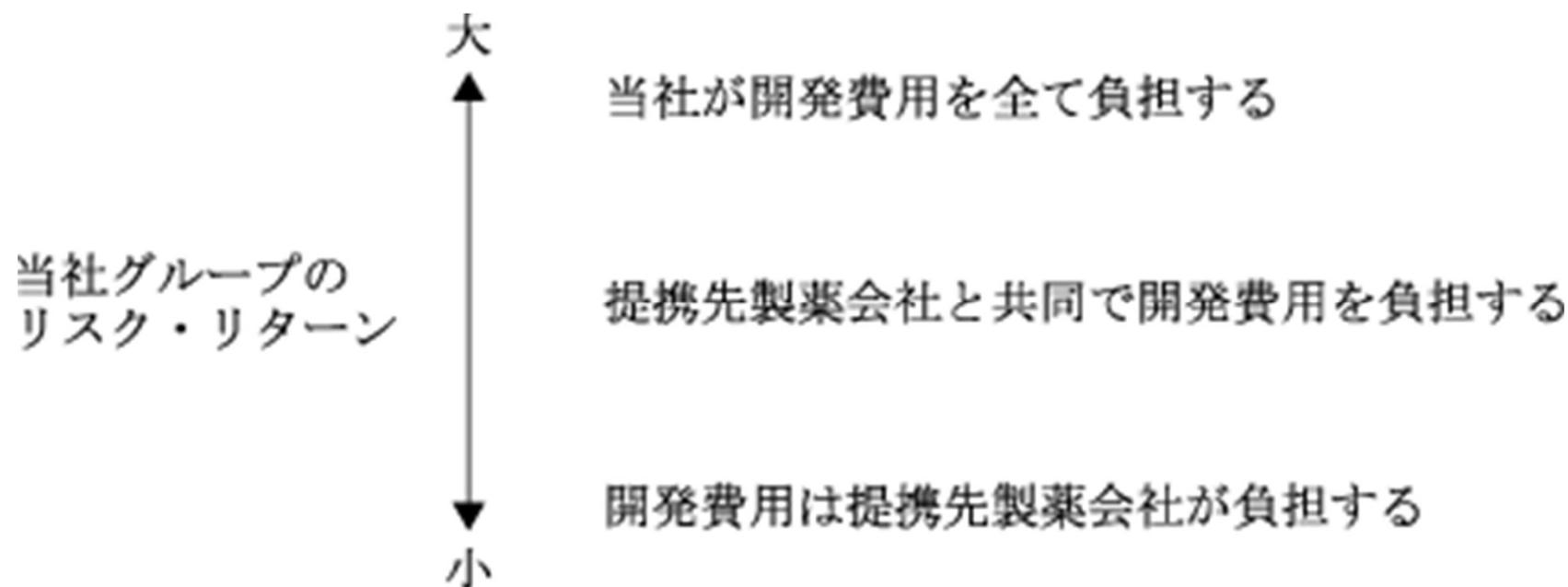
ビジネスモデル

- 当社製剤技術により新たに創出／製剤開発した医薬品候補製剤（開発パイプライン）を、医薬品としての製造販売承認を取得して上市するために開発
- 開発～上市する過程で、製薬会社等との間で開発・販売・製造に関する提携関係を構築
 - 提携先の製薬会社等から「契約一時金、開発・事業化の進捗に応じたマイルストーンフィー」「上市後の製品売上、ロイヤルティ」等の形で収益獲得



当社グループのリスク・リターン

- 開発パイプラインの特性（市場性、開発費用等）や、提携候補先製薬会社の当該パイプラインに対する取組姿勢を考慮して、開発パイプライン毎に当社グループの収益モデルを設計
- 当社グループ全体としてのリスクリターンのバランスを取るためのポートフォリオを構築しながら成長していくことを目指す

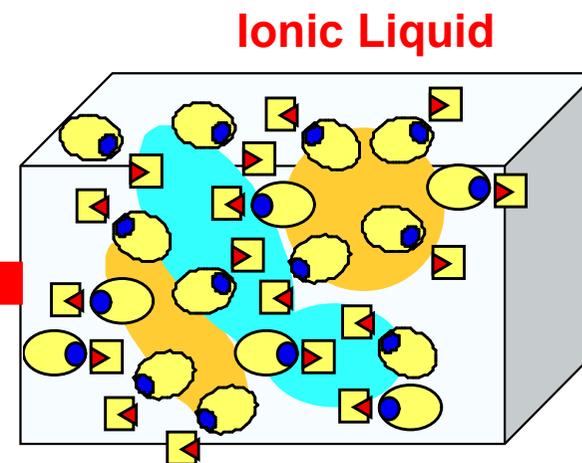


Key Technologyと開発パイプライン

●イオン液体を活用した経皮吸収型製剤技術

(ILTS[®] : Ionic Liquid Transdermal System)

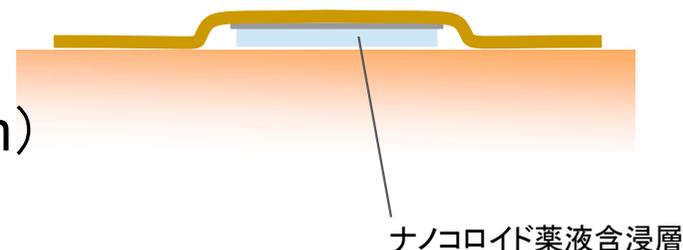
- MRX-4TZT
- MRX-5LBT
- MRX-9FLT
- MRX-6LDT



●ナノコロイドを活用した経皮吸収型製剤技術

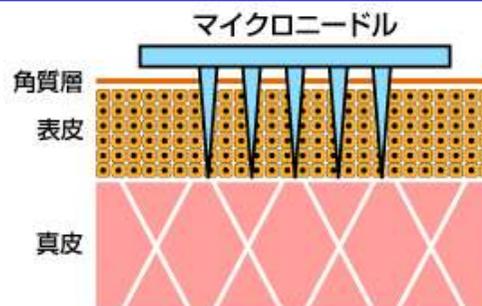
(NCTS[®] : Nano-sized Colloid Transdermal System)

- MRX-7MLL



●マイクロニードルアレイ

➤ 貼るワクチン



投与アプリケータ



独自の経皮吸収型製剤技術 ILTS[®] (Ionic Liquid Transdermal System)

経皮吸収型製剤の特長

1

薬効成分の徐放／持続性

- 薬物の血中濃度を一定に保ち効果を持続させやすい

2

ファーストパスの影響を受けない

- 経口薬における肝臓通過による薬効減退・副作用発現の抑制

3

服薬コンプライアンスの向上

- 嚥下障害等で飲めない患者さんでもOK
- 飲み忘れ防止
- 過剰投与時には除去可

4

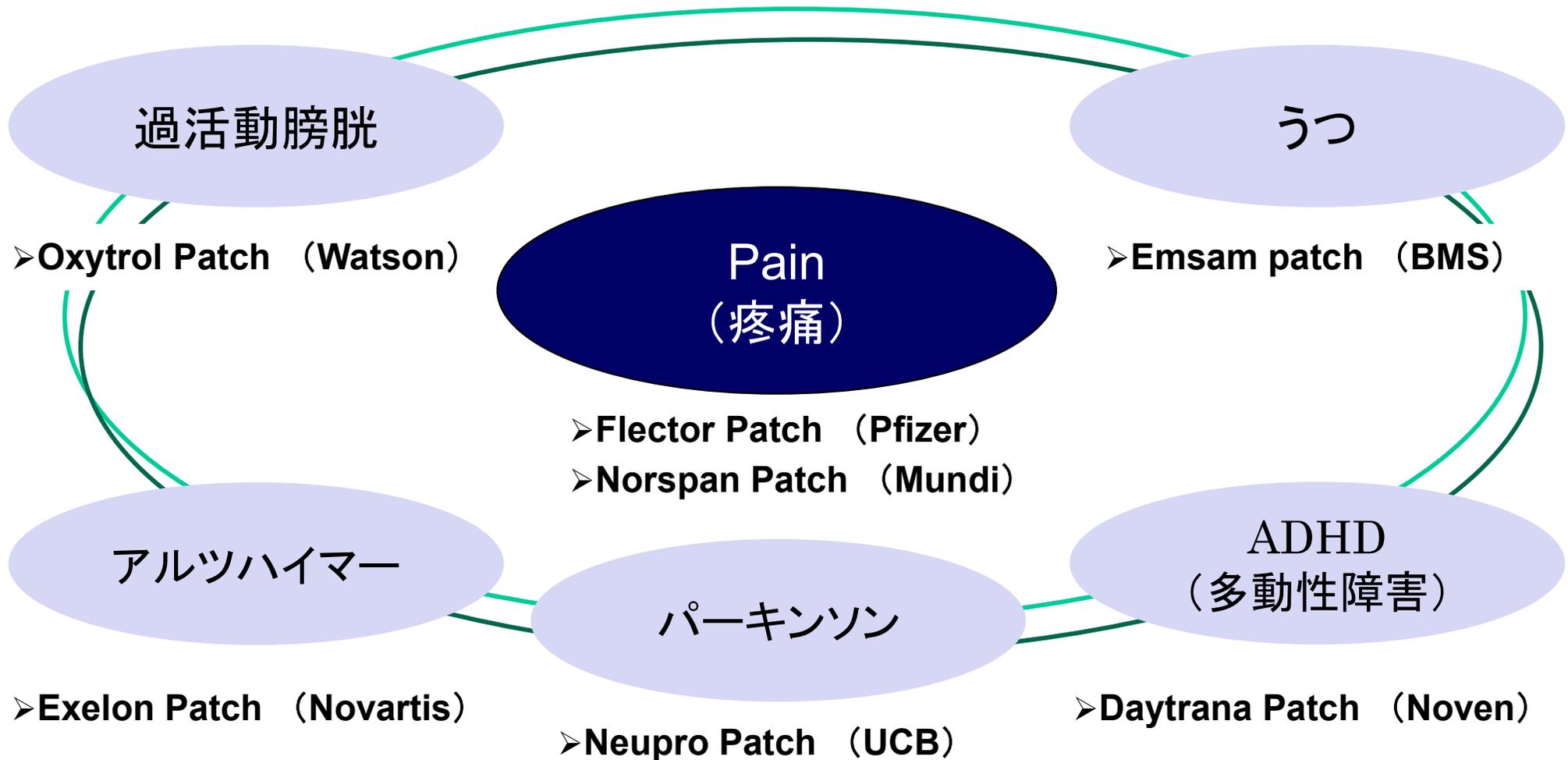
Painless (vs. 注射剤)



薬効の極大化、副作用の低減、患者QOLの向上に寄与

経皮製剤／Patchの適応領域の広がり

- FDA approved the following patches in a couple of years in U.S.
 - Painだけでなく、**多くの疾患領域に適用範囲が拡大**



経皮製剤の課題、ILTS[®]によるブレイクスルー

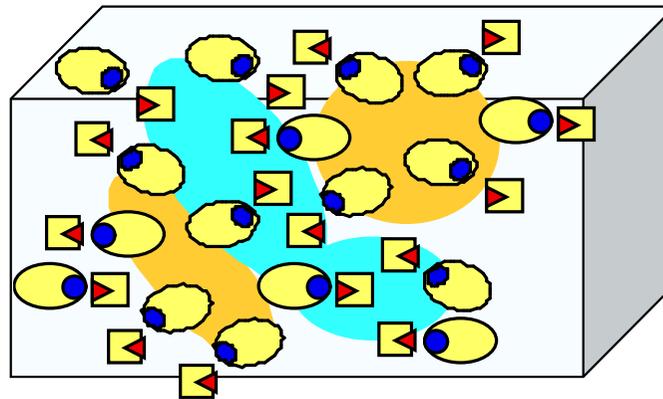


● 従来の経皮吸収技術の限界

- 一定の物理化学的性質（低分子かつ親油性かつ低融点）の薬物に限定される



● ILTS[®]によるブレイクスルー



Ionic Liquid

- **メドレックスが、世界に先駆けてイオン液体を経皮吸収技術に応用**
- **高分子（核酸、ペプチド）を始めとする、従来技術では経皮吸収が困難であった薬物を、イオン液体（Ionic Liquid）を利用することで経皮吸収可能に**

ILTS® : Uniqueness of MedRx

1

豊富なILライブラリー(数百種)

- 医薬品および添加物として人体に使用実績のある化合物で構成

2

薬物の特性からのIL選択ノウハウ

- 主薬のIL化、主薬溶解剤としてのIL、経皮吸収促進させるIL 等

3

IL効果を保持・増進する製剤化ノウハウ



- 薬物（パイプライン）毎に製剤特許を取得
- ノウハウの積み重ねであり、参入障壁大



成長戦略 開発パイプライン

成長戦略

創薬パイプライン型ベンチャーである当社グループにおいては、「創薬パイプラインの開発を一步一步進めて開発アセットの価値を高めていく」ことが、当社企業価値を最大化する唯一の道筋と考えています。

医薬品の開発にはリスクがつきものですが、開発パイプライン群のポートフォリオ構成に留意しつつ、早期の製品化に向けて積極的に開発を進めるとともに、製薬会社等との事業提携を模索してまいります。

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph-I	Ph-II	Ph-III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------



Why USA market First?

- 米国は、世界の医薬品市場の5割弱を占め、近年も高い成長率を維持しています。

【地域別売上高シェア】

2022年全世界売上高 1兆3,349億ドル（約170兆円：1ドル=130円で換算、出所：IQVIA）

米国 47.3%	EU5か国 14.9%	中国 8.4%	日本 5.0%	新興国 11.8%	その他 12.5%
-------------	----------------	------------	------------	--------------	--------------

【年平均成長率2020年～2022年】

米国 8.8%、EU5か国 4.2%、中国 4.7%、日本 ▲7.9%（出所：IQVIA）

また、特に当社が主に手掛ける新剤型医薬品（例. 飲み薬→貼り薬）に関して、

- 自由価格の米国市場においては、新剤型による付加価値（効果増大、副作用低減、QOLや利便性向上等）が医薬品価格に反映されやすい

- 一方で、公的保険及び公費で医療費の大半をカバーし公的な医薬品価格が設定される日本や欧州では財政上の制約もあり、米国市場と比較して相対的に、新剤型による付加価値が価格に反映されにくい傾向がある（旧剤型の医薬品価格と大差ない価格になりがち）

と、当社では考えています。

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

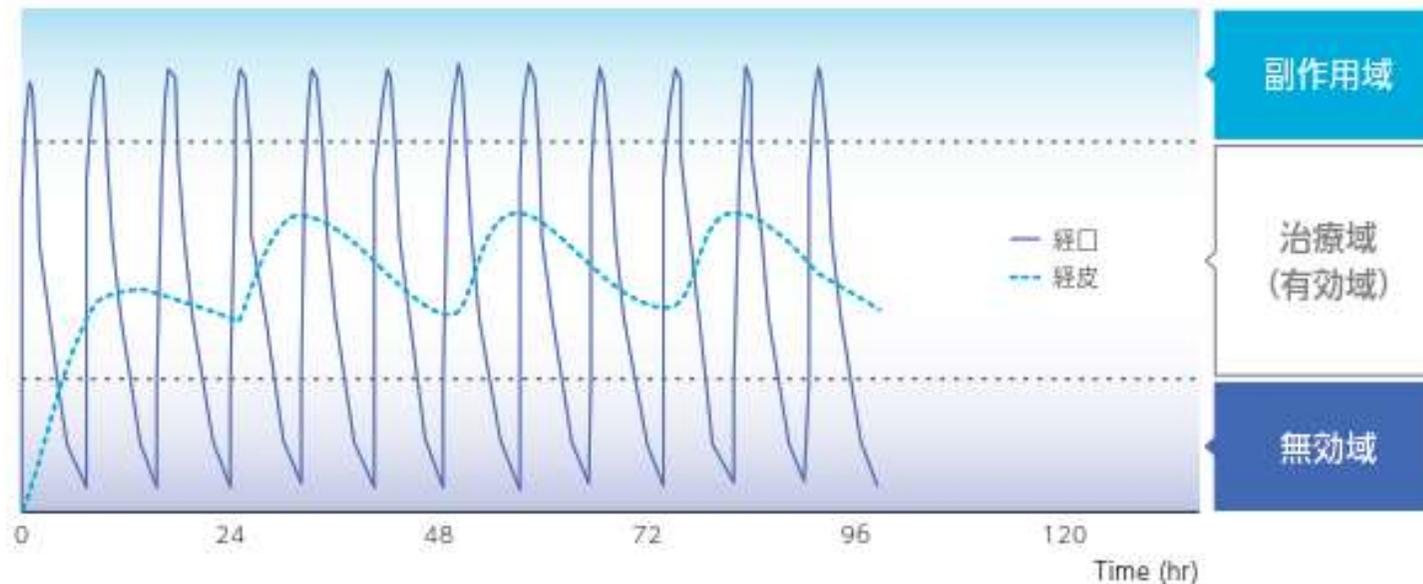
マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

MRX-4TZT：痙性麻痺治療薬

- 中枢性筋弛緩薬であるチザニジンにILTS®を用いて経皮製剤化。

- 経口剤と比して期待される利点：有効血中濃度の持続性、副作用の低減（眠気等）
- 筋弛緩薬の米国市場規模：約1,700億円 in 2022（出所：IQVIA）

■ 経口製剤と比較した経皮製剤の特長 - 血中濃度動態比較



- 経口製剤の血中濃度は、飲んだあと急激に上下するスパイク型の動態を示すため、副作用が出る領域まで上がりすぎてしまうリスクがある。
- 経皮製剤では、皮膚から薬が徐々に吸収される(徐放性)ため、治療域(有効域)の血中濃度が持続し、副作用が出るリスクを減らすことができる。また、治療域(有効域)の血中濃度が持続することから1日の投薬回数を減らすことが可能となる。

MRX-4TZT : ポテンシアル、開発・提携の状況

- **ピーク時売上予想：300-1,000 million USD(約400-1,400億円)**
 - (Volume) チザニジン経口剤は、米国において年間約10億錠、1日3回服用なので約3.3億日分が処方されており(2017-2021年、出所:IQVIA)、MRX-4TZTの販売ピーク時において、**チザニジン経口剤の9-30%が1日1回貼付の副作用が少ないMRX-4TZTに置き換わると想定すると年間3,000万枚-1億枚**
 - (Price) ピーク時の販売価格を**1枚10USDと想定**
- Cipla Techと「ライセンス終了合意契約」を締結(2023.4)
 - MRX-4TZTに関する全ての権利が当社に返還された
- 臨床第1相反復PK試験(P1b):成功(2019.9)
- P2試験準備中→**2024年にP2試験を開始予定**

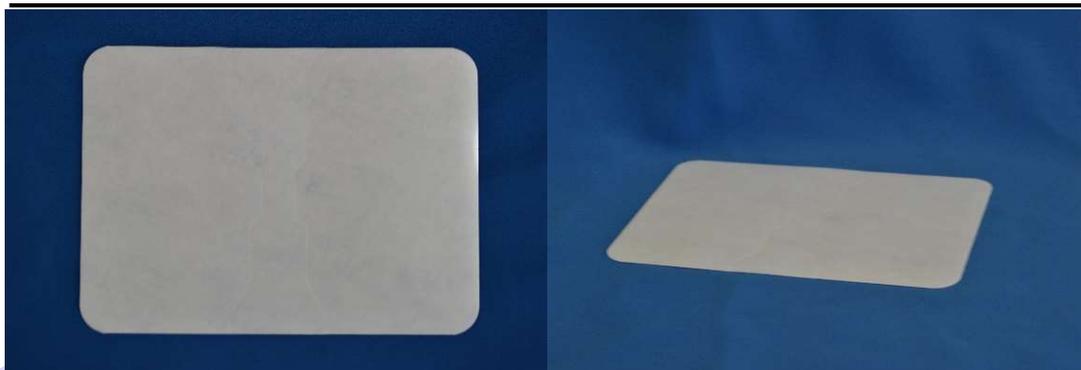
開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph-I	Ph-II	Ph-III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

MRX-5LBT “Lydolyte” : ターゲット



- ブロックバスターであったLidoderm[®] (リドカインパップ剤、ピーク時売上\$1 billion 超)の市場がターゲット
 - 適応症: 帯状疱疹後の神経疼痛
 - 米国リドカイン貼付剤市場: 約340億円 in 2022 (出所: IQVIA)
 - ✓ Lidoderm Generic製品が、数量ベースで約9割、金額ベースで約5割を占めている
- Lidoderm[®] (+ Generic製品)との差別化要因
 - 少量(30%弱)のリドカインで同等の効果
 - テープ剤ゆえの使い勝手の良さ
 - 「皮膚刺激性が少なく」「貼付力に優れ」「運動時においても貼付力を保持できる」

MRX-5LBT “Lydolyte”：開発・提携の状況

- Lidoderm®との検証的な比較臨床（生物学的同等性）試験：成功
- 貼付力評価試験、皮膚刺激性試験により、先行指標製品であるLidoderm®より「皮膚刺激性が少なく」「粘着力に優れ」「運動時においても粘着力を保持できる」結果を示した
- デ・ウエスタン・セラピテクス研究所（DWTI）と共同開発契約締結（2020.4）
 - 米国における事業化進捗に応じたマイルストーン（最大2億円）をDWTIより受領
 - 米国事業より得られた収益の一定割合をDWTIに支払
- 審査完了報告通知（CRL：Complete Response Letter）を受領（2023.9）
 - CRLにおいて、非臨床の一部データをFDAの指示に従って再提出するよう求められた
- データの再解析を進めて再申請（2024.1）、**審査終了目標日（PDUFA date）：2024.7.11、承認取得後2024年内の上市を計画**

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph-I	Ph-II	Ph-III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

MRX-9FLT：フェンタニル貼付剤（中枢性鎮痛）

- フェンタニルは、オピオイドの一種で医療用麻薬に指定されており、重度の急性疼痛、慢性疼痛、癌性疼痛の緩和に、主に貼付剤として使用されている。一方で、既存のフェンタニル貼付剤は、使用後の貼付剤を幼児・小児が誤って嚙んだり貼付したりすることで死亡する誤用事故が報告されている。



- MRX-9FLT：貼付剤における誤用事故を抑制・防止する当社の独自技術を適用した、新規のフェンタニル貼付剤
 - 2019年5月の面談会議において、FDAは、フェンタニル貼付剤における幼児・小児の誤用事故防止は重要で価値のあるゴールとの見解を示す
 - 2021年7月 FDAよりファスト・トラック指定
- 米国におけるフェンタニル貼付剤市場は、2022年において約190億円（出所：IQVIA）
 - 誤用事故防止機能という高付加価値化による市場奪取・更なる拡大を狙う
- IND申請(20.3)→最初の臨床試験結果(2020.9)
 - 参照製品と同様の血中濃度推移を確認
 - 誤用事故防止機能について、ヒトでの有用性を予備的に確認
- 参照製品との生物学的同等性を示すための比較臨床試験、誤用事故防止機能を検証する試験等の開発進行中

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph-I	Ph-II	Ph-III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

MRX-7MLL：開発の狙い、開発状況

- 米国アルツハイマー治療薬市場(2022年)は約380億円、うちメマンチン経口剤が約90億円(出所:IQVIA)
- 患者さん及びケアに当たるご家族や医療従事者のQOL(quality of life)及びコンプライアンスの向上(飲み忘れ等の防止)
 - 1日1回の経口剤 vs. 3日に1回(or 7日に1回)貼付剤
 - ご家族や医療従事者が投薬状況を目視確認できる
- FDAとのPre IND meeting(2018.12)
 - 経口剤との生物学的同等性を示すことができれば、有効性を示す臨床試験(P2, P3)は必要でないことを確認
- IND提出(2021.11)→承諾
- FDAからの示唆・助言を反映する形で製剤改良し、一部の非臨床試験を実施中→2024年第2四半期にP1a試験を開始予定

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

慢性疼痛治療薬：MRX-6LDT

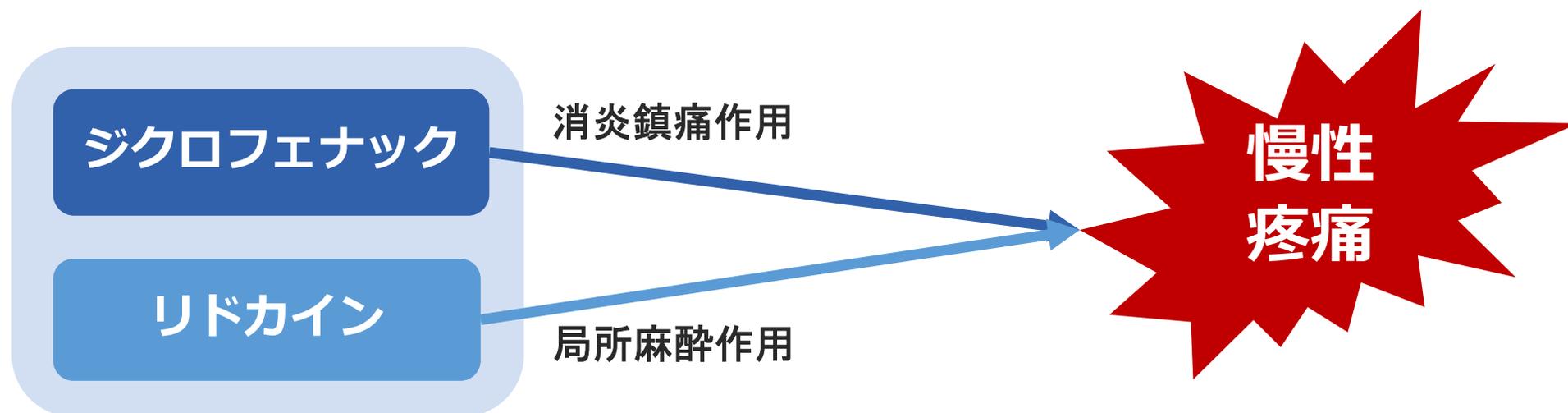
● 当社独自の経皮製剤技術ILTS®を用いた慢性疼痛治療薬

➤ 消炎鎮痛薬 **ジクロフェナック** 局所麻酔薬 **リドカイン**

両薬物同時の高い経皮浸透性を実現

➤ 異なる疼痛作用を持つ **ジクロフェナック** と **リドカイン**

の相加的あるいは相乗的な治療効果



MRX-6LDT：ターゲット、開発の状況

- 米国における疼痛管理薬市場（2022年）は約6,400億円（出所：IQVIA）
- 米国での慢性疼痛治療の基盤ともいえるオピオイド鎮痛薬の乱用リスクに対して、米国社会全体から厳しい視線が集まっている



乱用リスクがなく、有効性と安全性・忍容性に優れた慢性疼痛治療薬には大きな事業機会／潜在市場が存在

- まずは、非臨床試験と臨床第1相試験を実施して、MRX-6LDTの高い経皮浸透性及び製品ポテンシャルをヒトでのデータをもって確認することを計画
 - ▶ パイプラインポートフォリオと開発資金余力を睨みながら、開発スピードを検討していく

開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）



製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
MRX-4TZT 痙性麻痺治療薬 (チザニジン transdermal, ILTS®)				P1b試験成功 P2試験準備中			
MRX-5LBT “Lydolyte” 帯状疱疹後神経疼痛治療薬 (リドカイン topical, ILTS®)				2024.1 再申請 審査終了目標日：2024.7.11			
MRX-9FLT 中枢性鎮痛薬 (フェンタニル transdermal, ILTS®)				Fast Track指定 臨床開発実施中			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)			IND承諾				
MRX-6LDT 慢性疼痛治療薬 (ジクロフェナック・リドカインテープ剤)							
Alto-101 中枢神経疾患治療薬 (PDE4阻害剤)							

マイクロニードルアレイ (MN)	感染症に対するワクチン等のMN製剤の実現可能性を検討する動物試験を実施中
-------------------------	--------------------------------------

Alto-101：開発・提携の状況

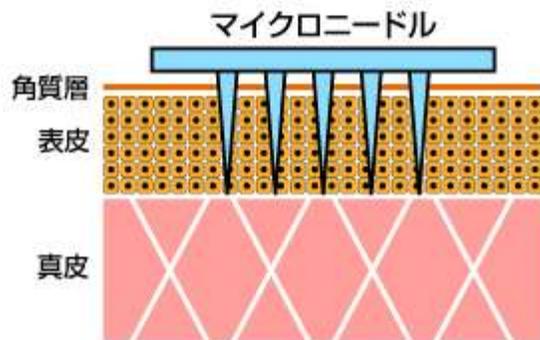
- 米国の創薬ベンチャー **Alto Neuroscience (Alto)**
 - ターゲットを絞った医薬品開発を通じて、Precision Psychiatry (精度の高い精神医学)を開拓
 - Precision Psychiatry Platform™: 脳波記録、行動タスクパフォーマンス、ウェアラブルデータ、遺伝的特徴などを解析することにより**脳のバイオマーカーを計測して、それぞれの患者に合うAltoの薬を提供**することを目指している
- Altoと、当社独自の経皮吸収技術を適用した**中枢神経領域の新規医薬品候補 (Alto-101, PDE4阻害剤)に関する提携契約を締結 (2023.9)**
 - 所定の開発段階まで共同で費用負担。以降は、Altoが主体となって開発を推進
 - Altoから、契約一時金 (0.15百万USD、受領済)、開発進捗に応じたマイルストーン収入 (最初の上市迄の総額11百万USD、異なる適応症の承認取得毎に一桁中盤の百万USD)を受領。製品上市後は、独占的に製品供給するとともに、売上高に応じたロイヤルティ (一桁中盤)を受領。また、販売達成額に応じて最大110百万USDのマイルストーン収入を受領することができる
- P1試験実施中→**2024年に様々な精神疾患を対象としたP2試験を開始予定**

貼るワクチン「マイクロニードル」

マイクロニードル(MN)の特長、当社MNの特長

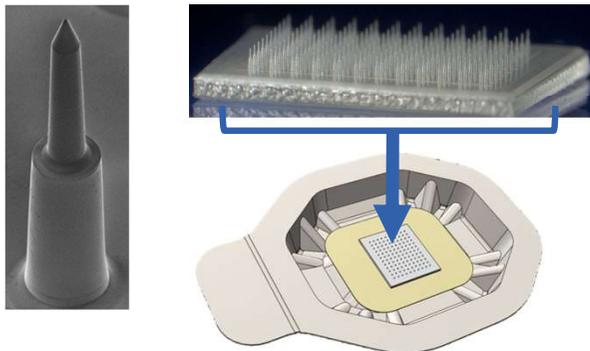
投与デバイスとしてのマイクロニードル (MN) の特長

角質層を無痛で局所的に破壊してワクチン抗原や薬剤を真皮層に投与する、非常に新規性の高い医療デバイス



- **従来の注射製剤と比べて、高い免疫効果**が期待される
 - ワクチン、免疫系疾患
- **医療環境が未整備の新興国やパンデミック発生時への対応**も期待される
 - 常温輸送・保管（冷蔵・冷凍での輸送や保管を必要としない）
 - 自己投与可能
- **無痛**
- **速効性**あり（vs.経口）
 - 片頭痛 等

メドレックスMNの特長



簡便で確実な投与を実現

簡便で確実な投与を実現する鋭い針先



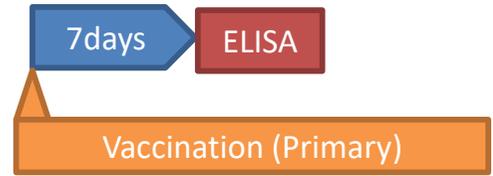
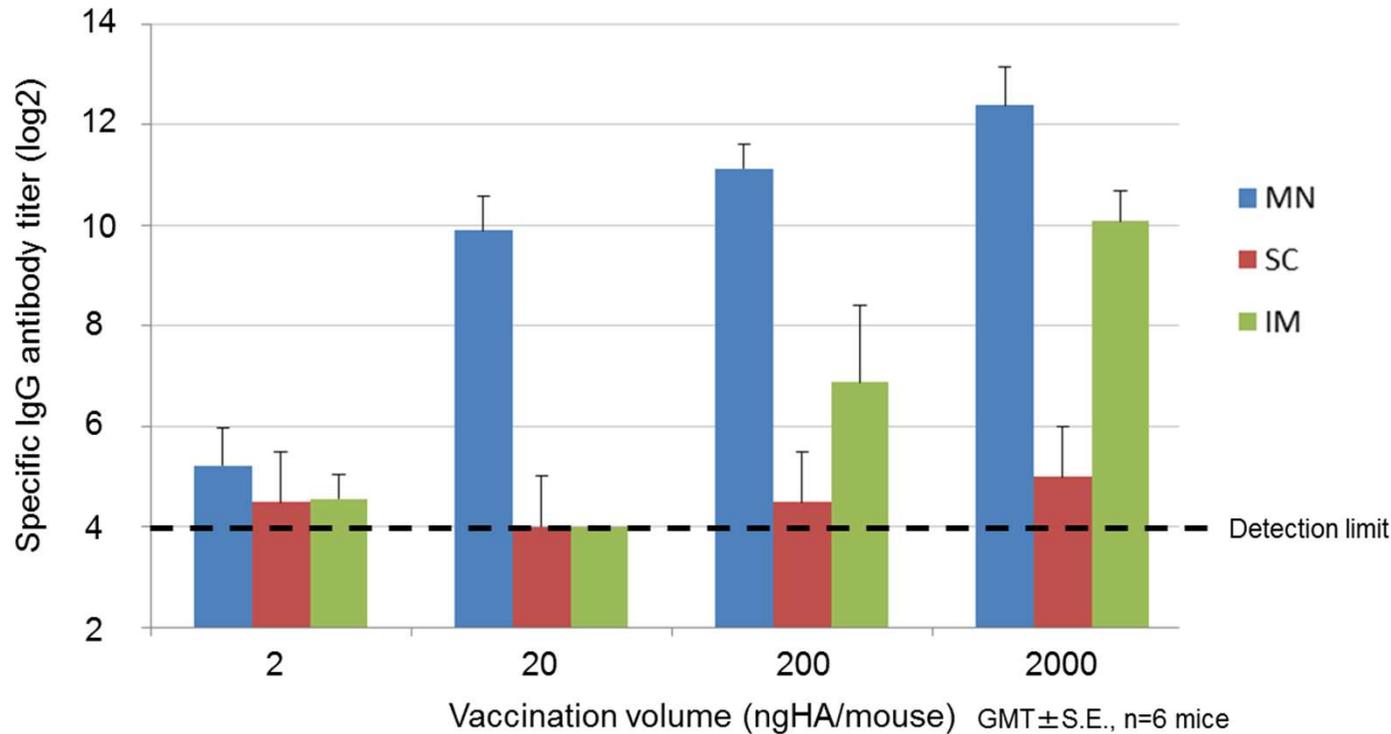
アプリケータ（挿入器具）と一体となった形で流通・供給



**指で押すだけで確実な投与
ディスプレイザブル**

MNワクチン接種による早期抗体産生

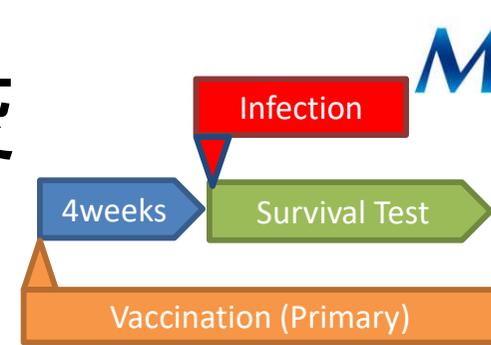
接種7日後の血清中抗原特異的IgG抗体価



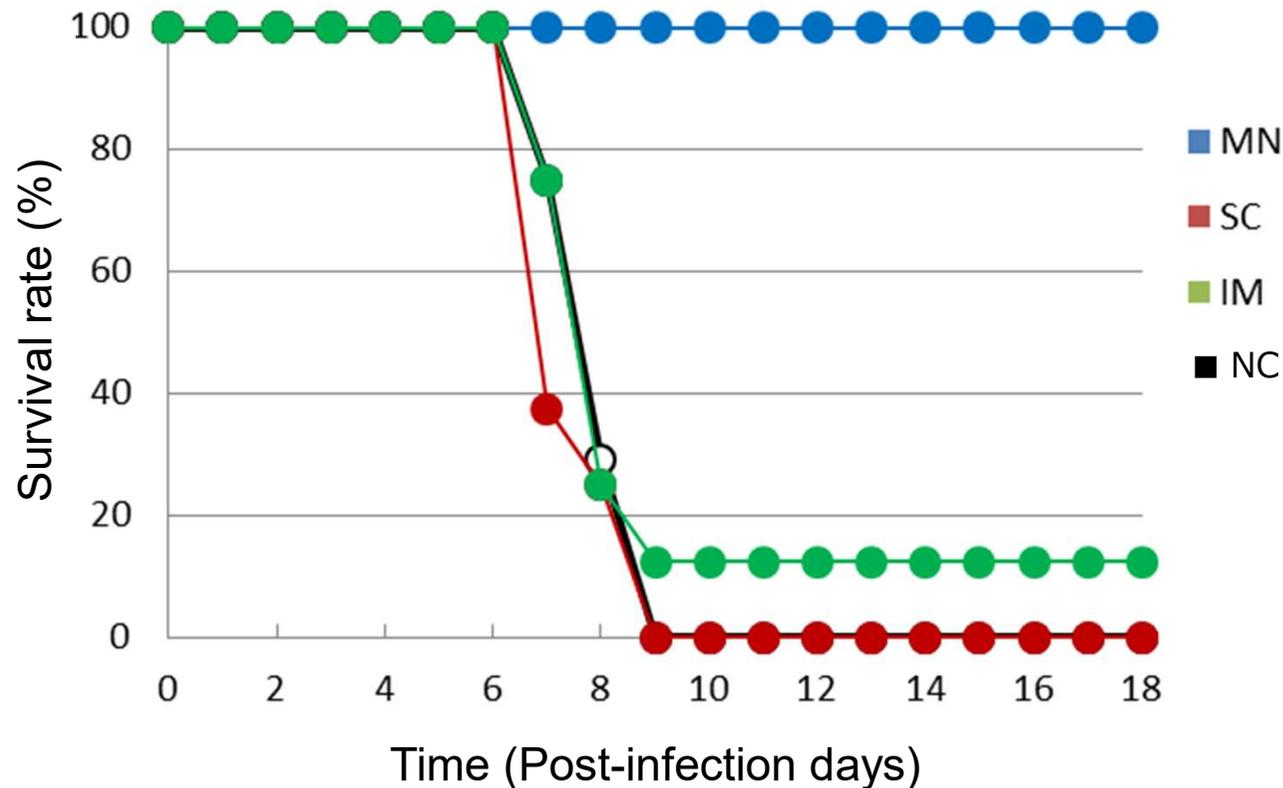
- 用量20 ng HA/mouse 以上においてMN接種は
 - 皮下接種(SC)に対し64-256倍高い抗体価を示した
 - 筋肉内接種(IM)に対し4-64倍高い抗体価を示した

MN接種は皮下および筋肉内接種と比較して、早期に少量の抗原で抗体価が上昇

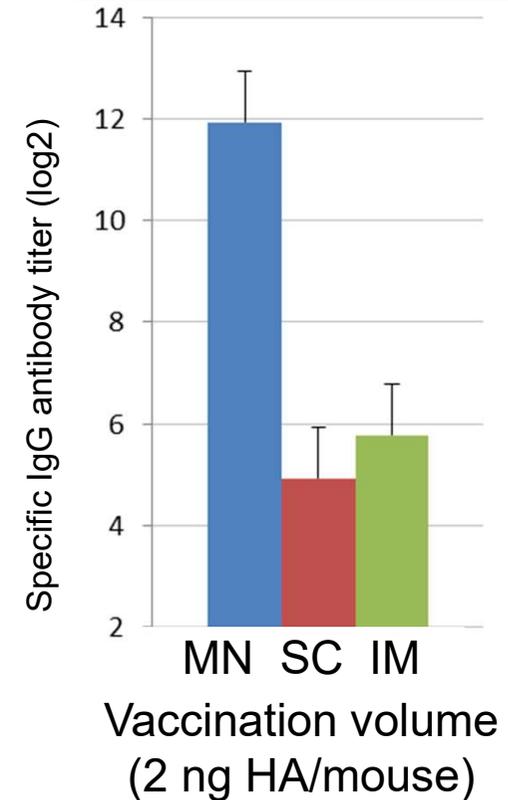
MNワクチン接種による長期免疫



HAワクチン接種4週間後に、
インフルエンザ感染させたマウスの生存率



接種4週間後の抗体価



MNワクチン接種は、皮下および筋肉内ワクチン接種と比較して高い生存率を示した

MN 事業：ターゲット市場と競争環境

<潜在市場規模>

●ワクチン向けMN：1,550億円～3.1兆円

(2021年世界ワクチン市場*[1,410億米ドル] x MN採用率[10-100%] x ワクチンメーカーへの供給価格、対ワクチン末端価格[10-20%]、*WHO's Global Vaccine Market Report 2022)

<競合>

●少し先を行く競合は存在するものの、いまだ医療用デバイスとしてMN量産を実現しているplayerは存在しない。

- Micron Biomedical, Vaxess, Vaxxas, LTS...
- 久光製薬、花王...

<当社の現況>

●2020.4～治験薬工場稼働。国内外の製薬会社・ワクチンベンチャー等と Feasibility Studyを通じて事業提携を模索

●Feasibility Study公表事案：研究進行中

- ファンペップとの抗体誘導ペプチドMN製剤（FPP005）
- コロンビア大学との乳がん治療MN製剤（免疫賦活剤「7DW8-5」＋抗がんペプチド「iRGD」）
- VaxSyna Inc.との子宮頸がんMNワクチン→VaxSyna社の事情により共同研究中止



前年度事業ハイライト（進捗状況）

2023年12月期 事業ハイライト (1)

<MRX-4TZT>

- Cipla Techと「ライセンス終了合意契約」を締結(2023.4)
 - MRX-4TZTに関する全ての権利が当社に返還された
- P2試験準備中

<MRX-5LBT “Lydolyte”>

- NDA再申請(2023.3)→審査完了報告通知(CRL)受領(2023.9)
 - CRLにおいて、非臨床の一部データをFDAの指示に従って再提出するよう求められた
- データ再解析を進めて再申請(2024.1)、**審査終了目標日(PDUFA date): 2024.7.11**

<MRX-9FLT>

- 臨床開発進行中

2023年12月期 事業ハイライト (2)

<MRX-7MLL>

- FDAからの示唆・助言を反映する形で製剤改良し、一部の非臨床試験を実施中

<MRX-6LDT>

- 開発資金不足のためpending

<Alto-101>

- **中枢神経領域の新規医薬品候補(PDE4阻害剤)に関する提携契約を締結(2023.9)**
- P1試験実施中

<マイクロニードル(MN)>

- Feasibility Study公表事案:研究進行中
 - ファンペップとの抗体誘導ペプチドMN製剤
 - コロンビア大学との乳がん治療MN製剤

2023年12月期 開発進捗 ～当初計画との対比～

	当初計画（23.2.10）	進捗状況
MRX-4TZT	米国にて第2相臨床試験を実施	第2相臨床試験準備中
MRX-5LBT “Lydolyte”	米国にて新薬承認取得のための再申請および承認取得	再申請した(23.3)がCRL受領(23.9)。再度NDA申請して受理(24.1)
MRX-9FLT	米国にて参照製品との生物学的同等性を示すための検証的な比較臨床試験等を実施	参照製品との生物学的同等性を示すための検証的な比較臨床試験等を実施
MRX-7MLL	製剤改良した上で一部の非臨床試験を追加実施	製剤改良は完了し、非臨床試験を追加実施中



重要な経営指標

2023年12月期決算概況

2024年12月期決算見通し

重要な経営指標（1）

- 創薬パイプライン型ベンチャーである当社グループにおいては、「創薬パイプラインの製品化に向けた開発の進展」「開発アセットの価値向上」こそが、当社グループの企業価値向上に最も大きく寄与する最重要の経営指標

2024年開発計画

- MRX-4TZT: 臨床第2相試験を実施予定
- MRX-5LBT “Lydolyte”: 米国にて、新薬承認取得及び上市予定
- MRX-7MLL: P1a(臨床第1相単回PK)試験を実施予定
- Alto-101: 様々な精神疾患を対象とした臨床第2相試験を実施予定

重要な経営指標（2）

- 未だ主要パイプラインが臨床開発段階にある創薬パイプライン型ベンチャーの当社グループとして、最重要視している財務指標は「現有資金」

現有資金

17億円(2023年12月末)



積極的に研究開発を進める(2024年研究開発費12億円見込み、主にMRX-4TZT P2試験実施のため2023年比で約5億円増加予定)上で、約1年分の事業資金を確保

調達資金の充当状況

(単位：百万円)

調達手段 (調達時期)	調達金額	資金使途	実績支出金額 (2023.12末時点)	予定支出金額 (充当予定時期)
第24回 新株予約権 (2022. 9- 2023. 2)	567	① 新規パイプライン創出に向けた製剤開発	180	—
		② MRX-4TZT臨床第2相試験（治験薬試製造等の準備費用を含む。）	183	204 (~2024. 3)
		合計	363	204
第25回 新株予約権 (2023. 3-9)	1, 400	① 新規パイプライン創出に向けた製剤開発	210	—
		② MRX-4TZT臨床第2相試験（治験薬試製造等の準備費用を含む。）	—	1, 190 (~2024. 12)
		合計	210	1, 190

資金調達計画

(単位：百万円)

調達手段	調達金額 (2024.1 末時点)	資金使途	支出予定時期	予定支出金額
第28回 新株予約権	—	① 製剤開発を中心とした研究開発 費用及び運転資金	2024. 2 - 2025. 11	815
		② MRX-7MLL P1a試験	2024. 4-7	120
		③ MRX-4TZZ 臨床第3相試験のため の非臨床試験（前半支払部分）	2024. 8-12	90
		合計		1,025
第29回 新株予約権	—	① 製剤開発を中心とした研究開発 費用及び運転資金	2025. 11 - 2027. 4	644
		② MRX-4TZZ 臨床第3相試験のため の非臨床試験（後半支払部分）	2025. 12 - 2026. 6	87
		合計		731



2023年12月期 経営成績の概況

当初業績予想との差異

(単位：百万円)

	2023年12月期 業績予想 (A) 2023年2月10日	2023年12月期業績 予想 (修正) 2023年9月29日	2023年12月期 通期実績 (B)	増減 (B-A)	主な増減理由
売上高	127	27	29	▲98	2023年内にLBT承認取得できず、 マイルストーン未達
売上原価	2	2	2	0	
販売管理費	955	1,075	960	5	
(研究開発費)	(746)	(866)	(737)	(9)	
営業損失	△830	△1,050	△933	▲103	
経常損失	△783	△1,003	△930	▲146	2023年に獲得予定であった助成金 収入(52百万円)が2024年にずれ込み
法人税等	2	2	2	0	
当期純損失	△786	△1,006	△932	▲146	

当資料は、株式会社メドレックスから直接提供する方法でのみ配布致しております。提供された方のみご使用下さい。この資料のいかなる部分も一切の権利は株式会社メドレックスに帰属しており、電子的または機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性がります。

2024年12月期 決算見通し

連結（百万円）	2023年12月期	2024年12月期	前期比	備考
売上高	29	200	678%	
製品売上	7	99	1377%	「MRX-5LBT "Lydolyte"」等の売上
研究開発等収入	22	101	452%	「MRX-5LBT "Lydolyte"」からのマイルストーン収入等
販売費及び一般管理費	970	1,542	161%	
研究開発費	747	1,221	166%	臨床試験費用、非臨床試験費用等
その他管理費	223	320	144%	「MRX-5LBT "Lydolyte"」の市販後安全管理費用等を含む
営業損失	△943	△1,425	—	
経常損失	△940	△1,384	—	
当期純損失	△943	△1,386	—	

当資料は、株式会社メドレックスから直接提供する方法でのみ配布致しております。提供された方のみご使用下さい。この資料のいかなる部分も一切の権利は株式会社メドレックスに帰属しており、電子的または機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性があります。



リスク情報

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があると認識する主要なリスク（1①）



●新薬開発の不確実性

医療用医薬品の開発には多額の研究開発投資と長い時間を要しますが、臨床試験で有用な効果を発見できないこと等により研究開発が予定通りに進行せず、開発の延長や中止の判断を行うことは稀ではありません。また、日本国内はもとより、海外市場への展開においては、各国の薬事関連法規等の法的規制の適用を受けており、新薬の製造及び販売には各国別に厳格な審査に基づく承認を取得しなければならないため、有効性、安全性、及び品質等に関する十分なデータが得られず、予定していた時期に上市ができず延期になる、または上市を断念する可能性があります。これは当社グループのパイプラインを他社にライセンスアウトした場合も同様であり、当社グループが研究開発を行った医療用医薬品候補及び他社にライセンスアウトした医療用医薬品候補の上市が延期または中止された場合、当社グループの業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

当該リスクの対応策として、当社グループでは、自社グループの研究開発機能を進化発展させるとともに、他の製薬企業、バイオベンチャー企業、大学等の研究機関との提携、共同研究・共同開発により、パイプラインの拡充及び複線化に努めています。経営資源の制約（資金、社員数等）によってパイプライン数の上限はありますが、「当社グループのリスク・リターン（6ページ）」に記載しておりますように、複数の開発パイプラインで、成功確率の大小、成功時収益の大小を評価の主軸とした開発パイプライン・ポートフォリオを構成することにより、当社グループ全体としてのリスクを一定程度低減させつつ、大きな成功を目指しています。

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える 可能性がある」と認識する主要なリスク（1②）



●パイプライン・製品に関する収益の不確実性

当社グループでは、当社製剤技術により製剤開発した複数の医薬品候補製剤（開発パイプライン）を製品化（医薬品としての製造販売承認取得）に向け臨床開発等を行っておりますが、製品上市前の収益として、各開発パイプラインのライセンスアウトによる契約一時金や開発の進捗に応じた所定の成果達成に基づくマイルストーン収益を見込んでいます。この発生時期はライセンス交渉や開発の進捗に依存した不安定で予測困難なものであり、ライセンス交渉や開発に遅延が生じた場合、あるいは臨床試験等において期待される結果が確認できなかった場合には、当社グループの業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

当該リスクの対応策として、経営資源の制約（資金、社員数等）によってパイプライン数の上限はありますが、「当社グループのリスク・リターン（6ページ）」に記載しておりますように、複数の開発パイプラインで、成功確率の大小、成功時収益の大小を評価の主軸とした開発パイプライン・ポートフォリオを構成して収益源（候補）を複線化することにより、当社グループ全体としてのリスクを一定程度低減させつつ、大きな成功を目指しています。

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える 可能性がある」と認識する主要なリスク（2①）



● 競合

医薬品業界は、国際的な巨大企業を含む国内外の数多くの企業や研究機関等による激しい競争状態にあり、その技術革新は急速に進んでいる状況です。これら競合相手との競争において必ずしも当社が優位性をもって継続できるとは限らず、研究、開発、製造及び販売のそれぞれの事業活動における競争の結果により、当社グループの業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

当該リスクの対応策として、自社グループの研究開発機能を進化発展させるとともに、他の製薬企業、バイオベンチャー企業、大学等の研究機関との提携、共同研究・共同開発により、最新の技術革新の取り込み及び協働による競争優位性の確保に努めてまいります。

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があると認識する主要なリスク（2②）



● 知的財産権

当社グループでは研究開発をはじめとする事業展開において様々な知的財産権を使用しており、これらは当社所有の権利であるか、あるいは適法に使用許諾を受けた権利であるものと認識しています。

しかし、当社が保有している現在出願中の特許が全て成立する保証はありません。また、特許が成立した場合でも、当社の研究開発を超える優れた研究開発により、当社の特許に含まれる技術が淘汰される可能性は常在しています。当社の特許権の権利範囲に含まれない優れた技術が開発された場合には、当社グループの業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

また、当社グループでは他社の特許権の侵害を未然に防止するため特許調査を実施しており、これまでに、当社グループの開発パイプラインに関する特許権等の知的財産権について第三者との間で訴訟が発生した事実はありません。しかし、当社グループのような研究開発型企业にとって知的財産権侵害の問題を完全に回避することは困難であり、第三者との間で知的財産権に関する紛争が生じた場合には、当社グループの業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性があります。

当該リスクの対応策として、当社グループでは知的財産権に関する豊富な知識、経験を有する専門人材を雇用してその任に当たらせ、特許権を含む知的財産権を適切に管理しております。また、取締役会において毎月、特許権の申請・取得状況について知財担当の専門人材の詳細な説明による継続的なモニタリングを行うことで、リスクの回避と影響の低減を図っております。

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があると認識する主要なリスク（3）



●資金繰り

当社グループは、研究開発型企业として多額の研究開発資金を必要とし、また研究開発費用の負担により長期に亘って先行投資の期間が続きます。この先行投資期間においては、継続的に営業損失を計上し、営業活動によるキャッシュ・フローはマイナスとなる傾向があります。当社も営業キャッシュ・フローのマイナスが続いており、かつ現状では安定的な収益源を十分には有しておりません。

このため、先行投資期間においては、必要に応じて適切な時期に資金調達等を実施し、財務基盤の強化を図る方針です。2013年2月に東京証券取引所マザーズ市場に上場して以来、今後の研究開発活動を積極的に展開するための資金を主に増資により確保してきています。当社グループでは、こうした方針を今後も継続していく予定ですが、将来的に必要なタイミングで資金を確保できなかった場合は、当社事業の継続に重大な懸念が生じる可能性があります。

成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があると認識する主要なリスク（４）



尚、経営者が当社の財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況に重要な影響を与える可能性があると認識する主要なリスクについては、当社の有価証券報告書（第21期 自2022年1月1日 至2022年12月31日）の14頁から17頁に記載していますので、併せてご参照下さい。

当社グループはこれらのリスク発生の可能性を十分に認識した上で、発生の回避及び発生した場合の適切な対応に努める方針ですが、当社株式に関する投資判断は、本項に記載したリスク、上記の有価証券報告書に記載したリスクも併せて、慎重に検討した上で行われる必要があると考えます。また、これらは投資判断のためのリスクを全て網羅したものではなく、更にこれら以外にも様々なリスクを伴っていることにご留意いただく必要があると考えます。

本資料の更新時期について

- 当社では「事業計画及び成長可能性に関する事項」について、事業年度末の決算短信発表後、同月（次回は2025年2月）内に更新する予定にしています。
 - ▶ ただし、事業計画及び成長可能性に関して大きな変更があった場合には、事業年度末の決算短信発表を待たず、「事業計画及び成長可能性に関する事項」について更新する可能性があります

本資料の取り扱いについて

- 本資料は、投資判断の参考となる情報の提供を目的としており、投資勧誘を目的としておりません。
- 本資料は、いわゆる「見通し情報（forward-looking statements）」を含んでおります。これらは、現在における見込、予測及びリスクを伴う想定に基づくものであり、実質的にこれらの記述とは異なる結果を招き得る不確実性を含んでおります。それらリスクや不確実性には一般的な業界ならびに市場の状況、金利、為替変動といった一般的な国内及び国際的な経済状況が含まれます。