事業計画及び成長可能性に関する事項

NANO MRNA 株式会社

2024年6月28日 (金)

"Robust foundation for Drug Discovery Concert"





Global leader for "mRNA for health"

Mission

Robust foundation for Drug Discovery Concert

mRNAの未来を協創する

Vision

mRNA medicine IP generator as a platform company that connects drug discovery seeds with medical and drug development needs.

創薬シーズと医療・開発ニーズをつなぐプラットフォーマーとして、 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 東京都中央区港区 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	142 百万円 (2024年3月31日現在)				
発行済株式総数	70,151,558 株 (2024年3月31日現在)				
役職員	28名 (2024年3月31日現在)				

NEW <経営チーム> 2024年6月27日~

代表取締役社長CEO	秋 永 士 朗	
取締役会長	松村淳	
副会長	飯 野 智	(株式会社ウィズ・パートナーズ 代表取締役社長CEO)
取締役(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)
取締役(社外)	黒圖肇	
監査役	松山哲人	
監査役(社外)	松 尾 隆	(株式会社オートバックス南日本販売 相談役)
監査役(社外)	和 田 成一郎	(株式会社ウィズ・パートナーズ マネージング・ディレクター)

Global leader for "mRNA for health"



ビジネスモデル



mRNA創薬の IP Generator

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、マイルストンや上市後の販売高に対するロイヤリティを受領

シーズから非臨床に特化

研究

非臨床試験

医薬品開発のステージごとの成功確率※ 69% **NATURE REVIEWS DRUG DISCOVERY, Vol.20.,203-214, March 2010



P1から上市までの成功確率:12% ⇒ 臨床開発開始前にライセンスアウト

創薬におけるグループ企業との役割分担



グループ企業で強力な創薬バリューチェーンを構築



NANO MRNA:

- ・ 分子標的/疾患を選定 → mRNAデザイン/DDSをデザイン → 薬理試験、動態・分布、初期毒性試験を実施 → 開発候補および知的財産を創製
- ・治験申請用パッケージはクライアントの希望に応じて作成
- ・ 治験実施前段階でライセンスし、収入を獲得

NEW 導出までの種々のパターン(受託型が増加傾向)





②創薬ベンチャー型

1協業型

- 自社発研究
- ・アカデミア 共同研究

出願 — ライセンス

出願 ── 公的・外部資金を利用 ─→ ライセンス

③受託研究型

・企業からの創薬委託 **▶---** 委託された場合 --▶

収益モデル

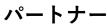


協業型・創薬ベンチャー型事業

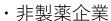


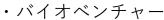












・アカデミア





臨床





花王/AMED/SCARDAなど











IP創出費用

想定4~8億円程度



IP導出

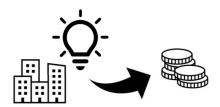
グローバル製薬企業などへ導出

1件 想定 30~50億円程度

販売ロイヤリティ

NEW

受託研究型事業









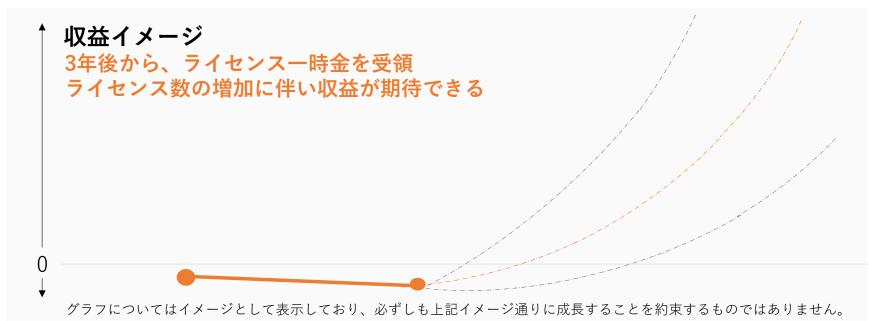


mRNA医薬の研究開発を受託 (mRNA設計~非臨床/臨床開発など)

1件 想定 数千万~数億円程度

mRNA創薬ビジネスの収益イメージ





NEW

	2024年3月期(実績)	2025年3月期(予定)	2026年3月期(予定)
実行PJ数(累計)	9	12	14
IP創出数(累計)	0	3	5
ライセンスアウトPJ数			2
受託型PJ数(累計)		2	8

- 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。

Global leader for "mRNA for health"



mRNA医薬開発市場環境

mRNA医薬:広範な適応 - 世界現状:2024年 -



mRNAエン コード抗体

mRNA-1944 (チクングニアウイルス) P1 POPA BNT-142 (CD3/CLDN6) P1

ゲノム編集

NTLA-2001 ATTRアミロイ ドーシス P2 POC

標的に対し適切なmRNAを設計し、 標的組織を考慮したDDSを用いれば 成功確率が高く効率的な研究開発を 進めることが可能

組織再生医療 心血管系治療 AZD8601 VEGF P2 POC mRNA-0184 Relaxin P1 **Functional protein**

遺伝性疾患

NEW

感染症

mRNA-3927プロピオン酸血症 P2 POC mRNA-3705 メチルマロン酸血症 P2 POC

感染症:

mRNA-1010 (インフルエンザ) 等が近々上市見込み

ワクチン

がん:

mRNA-4157 ネオ抗原ワクチン Keytruda併用 P3 (メラノーマ他)

> 自己免疫疾患、アレルギー: 免疫寛容誘導("逆ワクチン") の開発進行中

細胞医療

mRNA医薬の

適応症

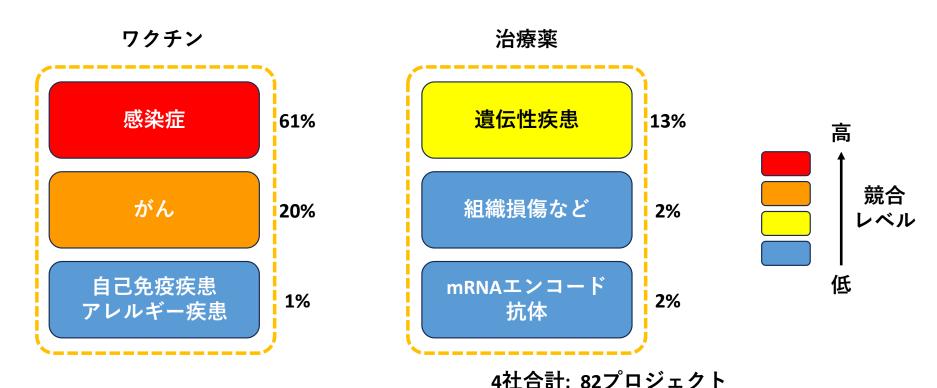
様々なmRNA CAR-Tなど が開発中

CAR-T

production

Moderna、BioNTech、Arcturus、CureVacのパイプライン分析 NEW





- 感染症ワクチンが最も競合度が高く、がんワクチン、遺伝性疾患治療薬がこれに続く
- 自己免疫疾患・アレルギー疾患に対する免疫寛容誘導ワクチンや組織損傷などに対する 再生医薬などは競合度が低い

図中の%は、82プロジェクトに対する百分率

Global leader for "mRNA for health"



パイプライン

パイプライン NEW



創薬領域	疾患	分子標的	シード	非	臨床	臨床P1	パートナー
組織再生	変形性膝関節症	RUNX1					PrimRNA CiCLE
	皮膚疾患	F					
	眼科疾患	С					X社
ワクチン	アレルギー疾患	В					花王
	感染症	Α					クラフトン/MAB組合
	アレルギー疾患	G					花王
	自己免疫疾患	Н					花王
がん	膠芽腫(ASO)	TUG1				DL1	名古屋大学
	乳がん(siRNA)	PRDM14				DL4	慶応大学

DL: Dose Level

RUNX1 mRNA: 転写因子RUNX1のmRNA/DDS製剤



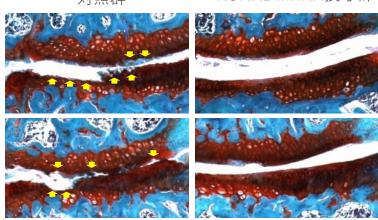
対象疾患:変形性膝関節症(疾患修飾薬)

- 軟骨の再生を促進する転写因子RUNX1をコードするmRNAのDDS製剤を膝関節内に投与
- 東京医科歯科大学・位高啓史先生との共同研究開発(AMED CiCLEに採択)
- 自社特許保有

RUNX1 mRNA治療後の膝軟骨組織像

対照群

RUNX1 mRNA投与群



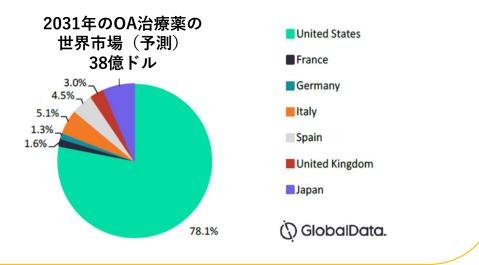
対照群では関節軟骨表面のめくれ・変性・摩耗が認められる 一方、RUNX1 mRNA投与群では、抑制されている

NEW

2024年度2H 医師主導治験開始予定

OA市場の成長ドライバー

- ・新規作用機序や疾患修飾作用を有する薬剤が上市により、治療レジ メンが変化し、市場が拡大する。
- ・高齢化および肥満の広がりにより、OA患者数は今後も増加し続ける。
- ・画像診断技術の向上が、疾患修飾薬の開発を促進し、早期介入を促す。
- ・その他



mRNAワクチン NEW



花王株式会社との包括的共同研究

2023年11月14日に発表した「mRNA医薬品創薬に向けた包括的共同研究契約」に基づき、アレルギー領域において免疫寛容誘導ワクチン¹⁾の共同研究を進めている。最初の共同プロジェクトはステージアップが決定し、これに続く複数のプロジェクトを開始した。

1)免疫寛容誘導ワクチン:自己免疫疾患やアレルギーなどの免疫異常による疾患に対し、原因となっている抗原に対して免疫寛容を誘導するワクチン

AMED先進的研究開発戦略センター(SCARDA)事業

名古屋大学発ベンチャーCrafton Biotechnology株式会社を研究代表機関として、令和4年10月に「重点感染症にも応用可能性が見込める新規モダリティの研究開発」に採択された課題に、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合(MAB組合・神戸)と共に参画している。NANO MRNAは今年度から非臨床試験を担当し、マイルストンをクリアする成績が得られた場合は臨床試験(Phase I)も担当予定である。

花王株式会社との包括共同研究契約締結



花王と NANO MRNA mRNA 医薬品創薬に向けた包括共同研究契約を締結

NEW

2023年11月14日開示





NANO MRNA 株式会社(代表取締役社長 秋永士朗、以下 NANO MRNA)と花王株式会社(代表取締役社 長 長谷部佳宏、以下花王)は、花王が独自開発した免疫制御技術「SNAREVAX(スネアバックス)™」*「を用いた、メッセンジャーRNA (mRNA)医薬品の創薬に向けた包括共同研究契約を締結しました。

*1 抗原に対して特定のタンパク質を融合した核酸配列設計を採用することで、その抗原に対する免疫応答を促進することが期待される技術のこと。「SNAREVAX™」は花王が商標登録出願中です。

花王はこれまで、界面科学や生命科学などに関する長年の研究資産を活用し、清潔・健康・美の実現に向けたさまざまな製品開発を行ってきました。今回、生命科学領域の研究を深化させ、mRNA 医薬品に応用可能な免疫制御技術を生み出しました。

NANO MRNA は、医薬品開発における豊富な知見を持つ mRNA 医薬品創薬のパイオニアとして、mRNA 医薬品候補の創出に特化した事業を推進しています。新たな技術を持つパートナーとの協働等による創薬活動を通じ、人々が必要とする mRNA 医薬品を届けることをめざしています。

花王は、新技術を活かすパートナーとして NANO MRNA に注目しました。mRNA 医薬品で世界の患者へ貢献したいという両社の思いが合致し、2022 年から、新規 mRNA 医薬品開発に向けた SNAREVAX™の有効性検証を共同で実施。本技術が優れた免疫制御機能を有することを確認してきました。

本包括共同研究では、SNAREVAX™を用い、アレルギー疾患をはじめとした領域において画期的なmRNA 医薬品創薬に向けた研究開発を推進します。アレルギー疾患は世界的な社会課題の 1 つで、罹患すると著しいQOL低下を招くだけでなく、喘息の発作や食物アレルギーによるアナフィラキシーなど重篤な症状を引き起こすこともあります。世界アレルギー機構(WAO)によると、世界では、2.4~5.5 億人が食物アレルギーに罹患しており、世界の子供の 40~50%が1つ以上のアレルゲンを持つと報告されています。また、先進工業国では 50 年以上にわたりアレルギー疾患の有病率が上昇し続けています*2。

*2 WAO White Book on Allergy 2013 update

今後、両社は、既存の医薬モダリティ(治療法)では十分な治療効果を得られない疾患に悩む人々への貢献をめざし、研究開発を推進していきます。

TUG1 ASO:長鎖非翻訳RNA TUG1に対するアンチセンス核酸/DDS製剤



対象疾患:膠芽腫(ファースト・イン・クラス抗がん剤)

- 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する
- 名古屋大学医学部・近藤豊先生/斎藤竜太先生との共同研究開発 AMED革新がん医療実用化事業(2026年3月まで)、臨床研究治験推進研究事業(2027年3月まで)採択
- 強固な知的財産権(TUG関連特許独占ライセンス済 + YBCポリマー自社特許)

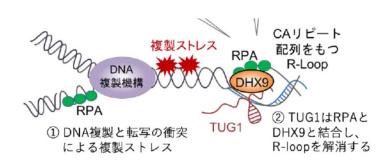
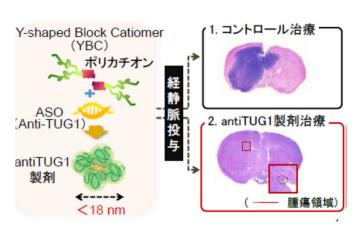
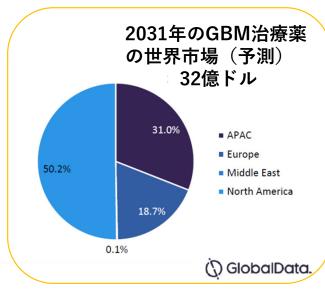


図2 複製ストレスによって発現上昇するTUG1はR-loopを解消する





NEW

<u>医師主導治験:2024年2月に最初の症例登録を完了し症例登録および投与継続中</u> 実施施設: 名古屋大学病院、京都大学病院、国立がん研究センター中央病院

PRDM14 siRNA(NC-6100):siRNA/DDS製剤

NEW



対象疾患:HER2陰性転移性乳がん

- 乳がんなどに高発現する転写因子RRDM14を 阻害するsiRNA医薬
- 慶応義塾大学等との共同開発
- YBCポリマーによるsiRNAのDDS製剤

2020年9月:医師主導第I相医師主導臨床試験開始

PI がん研有明病院・高橋俊二先生

2024年6月:第28回がん治療分子標的学会学術総会

<u>にて経過報告</u>

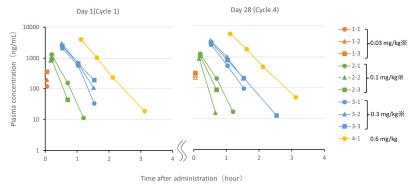
- 安全性:HER2陰性転移性乳がん患者10例に投与され、重篤な 副作用は確認されず大きな問題はなかった
- 抗腫瘍効果:10例中6PD、4SD。最高用量の1例で長期SDが 見られ、無増悪生存期間は25-180日(中央値45日)
- 薬物動態: PRDM14 siRNA/YBCポリマー複合体投与の投与量の増加に伴うPRDM14 siRNA曝露の増加が確認。最高用量では非臨床成績から外挿される有効血漿中濃度に到達、オリゴ核酸医薬の薬物送達システムとしてのYBCポリマーの臨床における有用性が示唆

HER2陰性乳がん

11人に1人の女性が罹患する(厚生労働省人口動態調査)と言われる乳がん中でHER2陰性乳がんは2/3を占め(ESMO OPEN 2023)、エストロゲン受容体(ER)陽性群とER陰性群に分類され、後者はトリプルネガティブ乳がん(TNBC)と呼ばれる。

HER2陰性ER陽性乳がんおよびTNBCは共に標準治療後の再発患者での生存率が著しく低く、新たな治療法が求められている。

乳がん患者に対するPRDM14を標的とした核酸医薬 医師主導第 I 相試験 PK血漿中濃度推移 (Day 1とDay 28の比較) Logarithmic plot



※0.03 mg/kg, 0.1 mg/kg, 0.3 mg/kgのデータは安定性期間外のため参考値

Global leader for "mRNA for health"



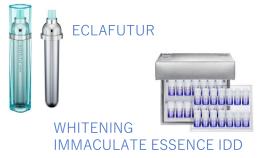
販売事業

販売/ライセンス収入

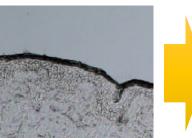


医薬部外品承認原料

配合例)共同開発:株式会社アルビオン



角質 表皮 真皮





2018年 International Investigative Dermatology



コムレクス[®] 耳科用液1.5%

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

2023年6月8日発売

製造販売元:セオリアファーマ

- 適応症:中耳炎・外耳炎
- ✓ 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

✓ ミセル化により皮膚に対する浸透性を高める

疎水性

蛍光物質

塗布 24hr後

✓ 有効成分含有量は、オフロキサシン耳科用液 0.3%*の5倍

mRNA医薬品 IP Generator



2024年3月期 通期決算概要 2025年3月期 事業計画

2024年3月期 損益計算書



(単位:百万円)	2023年3月期 連結実績 (累計)	2024年3月期 連結予想 A (累計)	2024年3月期 連結実績 B (累計)	増減 B - A
売上高	202	135	135	0
売上原価、販売費及び一般管理費	1,448	1,115	999	▲ 116
内:研究開発費	1,120	758	647	▲ 111
営業(損失)利益	(1,246)	(979)	(864)	115
営業外収益/(費用)ネット	141	96	114	18
経常(損失)利益	(1,104)	(883)	(749)	134
当期(純損失)純利益	(1,310)	(945)	(780)	165

業績予想からの研究開発費減少要因

パイプラインPRDM14、RUNX1他の研究開発費発生時期の期ずれ等

NEW

2024年3月期 貸借対照表 NEW



	(単位:百万円)	2023年3月31日 (A)	2024年3月31日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運	用債券等(手許流動性)	4,443	4,277	▲ 166
その他流動	資産	225	184	▲ 41
固定資産		1,115	609	▲ 506
資産合計		5,784	5,071	▲ 713
転換社債型	新株予約権付社債	1,108	1,108	0
その他負債		422	540	118
純資産		4,253	3,421	▲832
	資本金及び資本剰余金	5,618	5,665	47
	利益剰余金	(1,371)	(2,151)	▲ 780
	その他有価証券評価差額金	4	(108)	▲ 112
	新株予約権	2	15	13
負債・純資	負債・純資産合計		5,071	▲ 713

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

THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合

THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合

(株式会社ウィズ・パートナーズ)

(株式会社ウィズ・パートナーズ)

割り当て先:

割り当て先:

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)

TUG1医薬の治験・導出活動費用(200百万円)

▶ 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)

⇒ 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

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)

TUG1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)

実施中の資金調達の概要(新規発行)



2023年5月26日発表

割り当て先: IPガイア

割り当て先:アクセリード

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)

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)

※2024年5月31日時点



資金調達	調達額	使途	充当額	使用期間
第5回無担保転換社債型	1,150百万円	・mRNA医薬品開発の推進	260百万円	2023年2月
新株予約権付社債	1,130日/기	・TUG1医薬の治験・導出活動費用	NEW 210百万円	~2025年12月
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(2025年3月期) NEW



(単位	立:百万円)	2024年3月期実績 (連結)	2025年3月期予想 (連結)	増減
売上高		135	51	▲84
売上原価、販売費	資及び一般管理費	999	1,294	▲ 295
	内:研究開発費	647	929	▲282
営業(損失)利益	ì	(864)	(1,242)	▲ 378
経常(損失)利益	ì	(749)	(1,192)	▲ 443
当期(純損失)純		(780)	(1,206)	▲ 426

2025年3月期の計画

売上高

化粧品材料供給等

\mathbf{III}	ワロ	芦垟	XX	弗
IJπ	7 1.	HHI	-	

- ① 花王との共同研究などmRNAシーズの探索
- ② アクセリードグループ及びIPガイアとの連携強化
- ③ 医師主導治験の実施

RUNX1 mRNA (AMED CiCLE)

TUG1 ASO (AMED 革新がん、臨床研究・治験推進研究事業)

主な売上構成比	2024年3月期実績	2025年3月期予想
商品/原料等の販売	66%	100%
共同研究契約	34%	_

主な研究開発費構成比	2024年3月期実績	2025年3月期予想
mRNAパイプライン	36%	53%
mRNA以外の核酸パイプライン	32%	17%

現在



Global leader for "mRNA for health"

将来

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

<u>非臨床ステージに進捗したパイプラインに</u> 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、製薬企業のニーズを十分に把握し、 オープンイノベーションも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。

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。

シードから開発候補に至る確率向上に資する技術導入を、共同研究、提携、M&A等により柔軟に行うとともに、総合的な創薬体制を活用し開発候補に至らずとも収益が得られる受託型事業を増加させるなどリスクの低減に努めます。

上記の以外に、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。



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 03-6432-4791