



コード:4875



MEDICINOVA

MNOV  
NASDAQ<sup>®</sup>  
LISTED

# 2014年12月期第2四半期 決算説明会

メディシノバ

副社長 東京事務所代表 岡島正恒  
チーフメディカルオフィサー 松田和子

平成26年8月14日



## 将来の見通しに関する記述

資料には、1995年米国民事証券訴訟改革法に規定する「将来の見通しに関する記述」が含まれている可能性があります。これらの記述には、当社の製品候補の期待される進捗、ライセンスの可能性、提携プランなどに関する記述が含まれます。これらの記述は、当社の経営陣がその時点の状況下において合理的であると判断して立てた前提に基づくものです。このような記述は、臨床試験の結果、見込み提携先の市場利益、当社が米国証券取引委員会に提出した届出書に記載されているものも含めたその他のリスク、不確定要素など、その多くは当社のコントロールが及ばないいくつかの前提、リスク、不確定要素の影響を受けるものです。実際の当社の業績は、「将来の見通しに関する記述」に示唆されるものと大きく異なることがあります。



# 会社理念と経営方針

## 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。



# 会社概要

本社所在地: アメリカ合衆国  
カリフォルニア州  
ラ・ホイヤ

東京事務所  
所在地: 東京都港区  
西新橋 1-11-5  
新橋中央ビル5階

設立年月日: 2000年9月26日

資本の部: 24,800,873米ドル(約25.5億円)  
(2014/6月末時点)

上場市場: - 2005年2月8日、  
東証JASDAQ市場上場  
(銘柄コード: 4875)  
- 2006年12月7日、  
米国NASDAQ市場上場  
(銘柄コード: MNOV)

主な事業内容: 医薬品の開発



経営陣	経験年数	略歴
<b>執行役</b>		
<b>岩城 裕一</b> 代表取締役社長兼CEO (最高経営責任者)	38年	ピッツバーグ大学教授、 南カリフォルニア大学教授歴任、ジャフコ、日本政策投資銀行顧問役
<b>岡島 正恒</b> 副社長、東京事務所代表	22年	大和証券 SMBC、 住友キャピタル証券、住友銀行
<b>松田 和子</b> チーフ・メディカル・オフィサー (CMO)	22年	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
<b>ジェフリー・オブライアン</b> 副社長、管理部門担当	22年	UBS, DLJ/クレディ・スイス・ファースト・ボストン、 野村、パンク・ズイーガルの株式アナリスト
<b>エスター・ヴァン・デン・ブーム</b> チーフ・ファイナンシャル・オフィ サー(CFO)	10年	アーンスト&ヤング(米国公認会計士)、Universal Life Resources
<b>(独立)取締役</b>		
<b>ジェフ・ヒマワン</b> 取締役会長		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
<b>中田貢介</b> 取締役		キッセイ薬品工業(株)
<b>繁田寛昭</b> 取締役		ザ・メディシンズ・カンパニー取締役、中外製薬取締役、 日本ロシュCEO
<b>小林温</b> 取締役		セガサミーホールディングス株式会社顧問、参議院議員(経 済産業大臣政務官、参議院自由民主党政策審議会副会長)
<b>石坂芳男</b> 取締役		トヨタ自動車顧問、トヨタ自動車海外部門統括担当副社長、 米国トヨタ自動車販売社長



## 本日のアジェンダ

- ◆ 2014年上期のハイライト
- ◆ メディシノバのパイプライン
- ◆ 2014年下期の開発予定
- ◆ 2014年12月期第2四半期決算状況
- ◆ メディシノバの株価状況

# 2014年上期のハイライト



# 事業活動ハイライト

## 2014年

- 1月：
  - Genzyme社から遺伝子治療プログラムに関するマイルストーン6百万米ドルの受領を発表
  - MN-001のNASH(非アルコール性脂肪性肝炎)を適応とする試験結果を発表
- 3月：
  - イブジラスト(MN-166)のマリファナ依存症治療を適応とする臨床試験に対する米国国立薬物濫用研究所の資金供与決定およびフェーズ2a臨床試験開始を発表
  - 今後の開発方針に関するお知らせを発表
- 4月：
  - 石坂芳男氏(元トヨタ自動車海外部門統括担当副社長)の取締役就任を発表
  - ヴァン・デン・ブーム氏(元Ernst & Young)のCFO就任を発表
- 6月：
  - MN-001のPF(肺線維症)を適応とする試験結果を発表
- 8月：
  - MN-001の進行型NASH(線維化を伴った非アルコール性脂肪性肝炎)を適応とする試験結果を発表
  - MN-001及びMN-002の非アルコール性脂肪性肝疾患(NAFLD)治療を適応とする特許(米国)承認を発表



# IR説明会ハイライト(2014年)

2014年1月22日	モーニングスター主催個人投資家向けIR説明会(札幌)
2014年2月6日	SMBC日興証券大分支店個人投資家向け説明会(大分)
2014年2月7日	SMBC日興証券熊本支店個人投資家向け説明会(熊本)
2014年2月18日	SMBC日興証券奈良支店個人投資家向け説明会(奈良)
2014年2月21日	モーニングスター主催個人投資家向けIR説明会(金沢)
2014年2月28日	モーニングスター主催個人投資家向けIR説明会(東京)
2014年3月28日	通期決算説明会(東京)
2014年4月24日	SMBC日興証券佐賀支店個人投資家向け説明会(佐賀)
2014年5月20日	「賃貸住宅フェア」内株式投資フェア(仙台)
2014年5月27日	「賃貸住宅フェア」内株式投資フェア(福岡)
2014年7月19日	日本経済新聞社主催個人投資家向け会社説明会(大阪)





# メディシノバのパイプライン



# 最新のポートフォリオ

開発コード／化合物名 (オリジネーター)	適応症	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
<b>MN-166 / イブジラスト</b> (キョーリン製薬株式会社) 	多発性硬化症 進行型多発性硬化症	→		
	依存症 メタンフェタミン(覚醒剤) オピオイド(麻薬) アルコール マリファナ(大麻)	→		
	疼痛 慢性薬剤誘発性頭痛	→		
	<b>MN-221 / ベドラドリン</b> (キッセイ薬品工業株式会社) 	気管支喘息急性発作	→	
<b>MN-001 / ティペルカスト</b> (キョーリン製薬株式会社) 	線維症 非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)	→		
	肺線維症 (PF)	→		
<b>MN-029 / デニブリン</b> (Angiogene Pharmaceutical Ltd.)	悪性腫瘍	→		

## メディシノバの主要パイプライン

### MN-166 (イブジラスト Ibudilast)

- 神経変性疾患～進行型多発性硬化症
- 依存症
- 疼痛

### MN-001 (ティペルカスト Tipelukast)

- 非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)
- 進行性NASH
- 特発性肺線維症 (IPF)

## パイプライン開発状況-1

### MN-166 (イブジラスト Ibudilast)

- 進行型多発性硬化症
- 依存症(薬物、嗜好物等)
- 疼痛(神経因性他)

**MN-166**





# イブジラスト(MN-166)の概要

## 杏林製薬が開発, 1989 年上市 (20年以上の歴史)

- ✓ 低分子化合物、経口カプセル
- ✓ 喘息または脳梗塞後の“めまい”の適応
- ✓ 既に日本だけで320万人以上に処方 — 安全性・認容性良好
- ✓ 種々のメカニズム (PDE3,4,10,11阻害、MIF阻害作用他)を介し、活性グリアを抑制

## ニーズが満たされていない中枢神経系疾患への効果が期待される

- ✓ 神経変性疾患 (進行性多発性硬化症)
- ✓ 依存症 - 覚醒剤、麻薬系、嗜好品(アルコールなど)
- ✓ 神経因性疼痛



# 進行型多発性硬化症適応のフェーズ2b臨床治験の概要

## SPRINT-MS study

**N = 250**

対象・期間: 進行型多発性硬化症患者、2年間(96週)

デザイン: プラセボ対照二重盲検試験 (全米28施設)

最初の2週間:

プラセボ または イブジラスト60mg/day

2週-8週目:

用量タイトレーション

8週目以降:

プラセボ または イブジラストup to 100mg/日  
(被験者の認容性、安全性によっては60mg/日 80mg/日への用量も可能)

**目的:**

進行型多発性硬化症患者におけるイブジラストの脳萎縮抑制(予防)効果を評価(MRI)

INFβ、コパキサン使用者におけるイブジラスト併用の安全性を評価

## パートナー

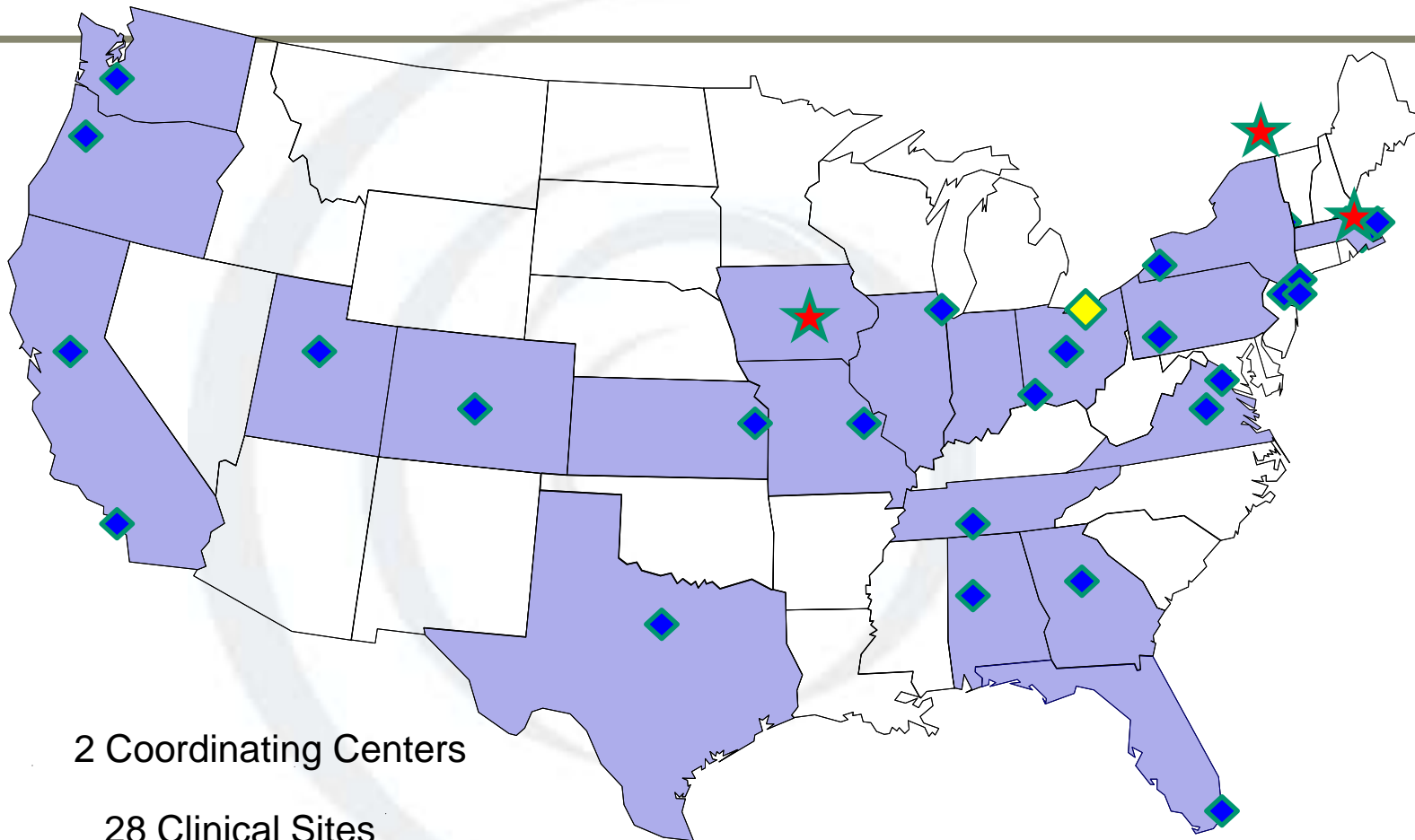


## タイミング

現在進行中



# SPRINT-MS study 参加施設



2 Coordinating Centers



28 Clinical Sites



Protocol PI, Pulse Sequence and OCT Coordination



# 覚醒剤依存症適応のフェーズ2臨床試験の概要

## UCLA-Meth-Ph2 study

**N = 140**

対象: 治療希望の覚醒剤中毒者

デザイン: プラセボ対照無作為二重盲検試験

用量: プラセボ または イブジラスト100mg/日

期間: 3回/週 x 12週間 の外来通院

❖ 身体所見、血液検査、ECG、尿検査などを行う

主要評価項目は、最後の2週間のメタンフェタミン使用の有無

✓ *NIDA* 及び *FDA* 推奨の評価項目

## パートナー



## タイミング

現在進行中





# アルコール依存症適応のフェーズ2臨床治験の概要

## UCLA-Alcohol abuse study

**N = 24**

対象: 治療希望のアルコール依存症患者

デザイン: プラセボ対照無作為二重盲検、クロスオーバー

用量: プラセボ または イブジラスト100mg/日

期間: 7日間(外来+病棟1泊) x 2セッション

❖ 身体所見、血液検査、ECG, アルコールチャレンジ試験

禁断症状、精神状態、アルコール渴求度 (病棟でのアルコール静注チャレンジなど)

## パートナー



## タイミング

現在進行中



# 麻薬ヘロイン依存症適応のフェーズ2臨床治験の概要

**MN-166/AV411-SA**

**N = 24**

対象: 治療希望の麻薬・ヘロイン依存症患者

デザイン: プラセボ対照無作為二重盲検、クロスオーバー

用量: プラセボ または イブジラスト100mg/日

期間: 20日間(病棟) x 2セッション

❖ 身体所見、血液検査、ECG, ストレスチャレンジ

禁断症状、精神状態、麻薬渇欲度、麻薬の自己投与の有無

**パートナー**



**タイミング**

現在進行中



# MN-166(イブジラスト)の特許マップ



## 用法特許

依存症

米国特許期限 ≥2030  
EU 特許許可通知

進行型  
多発性硬化症

米国特許期限 ≥2029  
EU 特許期限 2029

神経因性疼痛

米国特許期限 ≥2025  
EU 出願中

外傷性脳損傷  
治療/PTSD

多発性硬化症  
イブジラスト  
+免疫促進剤

急性及び亜慢性  
疼痛

米国 出願中  
EU 特許期限 2028

薬剤誘発性  
頭痛

## AV1013 組成物特許

AV1013 (アナログ)

米国特許期限 ≥2027  
EU 出願中

AV1013  
鏡像体

米国特許期限 ≥2030  
EU 出願中

Key:

交付または  
認可済

出願中

\* 米国の特許期限にはハッチ・ワクスマン法による特許期間の延長は含んでいない(業界平均 = 4.5年).

## パイプライン開発状況-2

### MN-001 (ティペルカスト Tipelukast)

- 非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH)
- 進行性NASH
- 特発性肺線維症 (IPF)

**MN-001**

Tipelukast





# MN-001 (ティペルカスト) の概要

- ✓ 低分子新規化合物、経口 錠剤
- ✓ ロイコトリエン拮抗作用、PDE3、4阻害、5-リポキシゲナーゼ阻害など多彩なメカニズム
- ✓ 臨床的には抗炎症、抗線維化作用

## 過去の開発経緯

### 気管支喘息、間質性膀胱炎への適応

- ✓ 喘息治療薬: 軽度から中等度の喘息患者に対するフェーズ2試験で良好な結果
- ✓ 現在まで600名以上に投与、良好な認容性が確立

## 線維化疾患への適応

- ✓ 5-リポキシゲナーゼ(5-LO)経路を介したロイコトリエン生合成阻害による炎症の軽減および、線維化軽減の可能性が示唆
- ✓ 複数の動物モデルスタディで、組織染色による線維化スコア、生化学的検査、遺伝子発現検査などで、著明な抗線維化作用を確認



# NASH(非アルコール性脂肪性肝炎)とは？

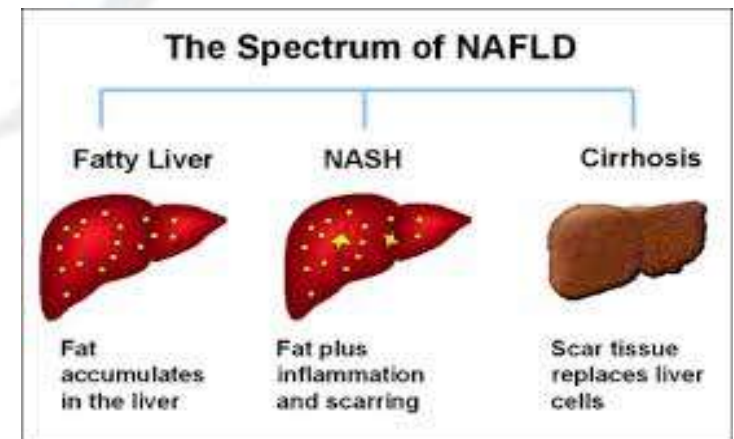
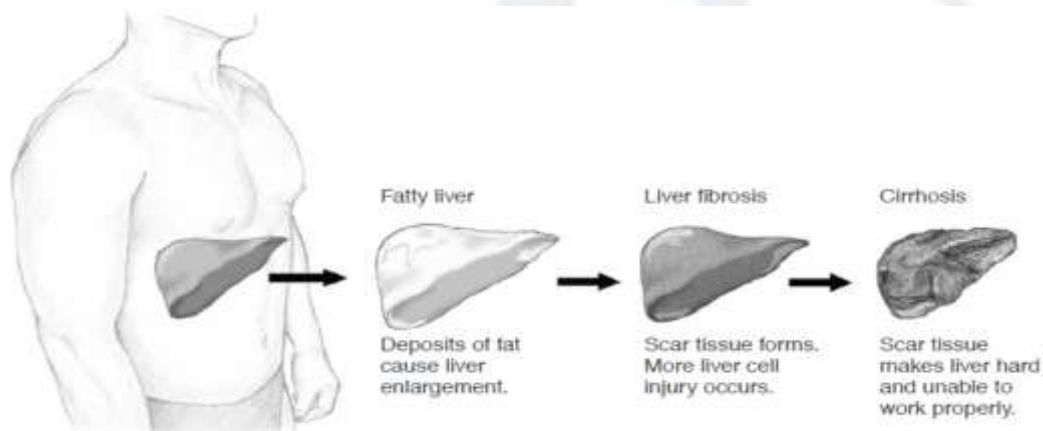
**NAFLD (Non-alcoholic fatty liver disease) :**

肝細胞のダメージがない脂肪肝ーアメリカで3000万人以上の患者

**NASH( Non-alcoholic steatohepatitis):**

肝細胞のダメージがある脂肪肝

肝臓に不可逆的変性をおこし、肝硬変、肝不全の原因として最も多い疾患ーアメリカで850万人以上の患者





# NASH動物モデル試験

## 動物モデル試験のデザイン

- ✓ ヒトNASHに類似した病態進行(脂肪肝から NASH(脂肪肝炎及び線維化)、結節性病変、肝癌へと進行)を短期間で発症することを特徴としたマウスのNASHモデルを対象
- ✓ 3種類の異なる薬用量(一日1回10,30,100 mg/kg)のMN-001を
  - NASH病態形成時(6週)より3週間投与し
  - Advanced NASH病態(+線維化)形成時(8週)より4週間投与
- ✓ 治療効果については、マウス肝臓組織染色検査、肝機能検査、肝組織細胞から抽出された遺伝子解析を実施



# NASH動物モデル試験結果-1

## 肝臓組織検査の結果

1. 肝臓の線維化領域の軽減 ( $p < 0.01$ )
2. NAFLD(NASH)スコアの改善 ( $p < 0.01$ )
3. Ballooningスコアの改善 ( $p < 0.01$ )
4. 肝臓の炎症領域の軽減 ( $p < 0.01$ )
5.  $\alpha$  -SMAの減少 ( $p < 0.01$ )





## 遺伝子解析の結果

1. 炎症関連サイトカイン・レセプター
  - MCP-1のダウンレギュレーション ( $p < 0.01$ )
  - CCR2のダウンレギュレーション ( $p < 0.01$ )
2. 線維化関連因子
  - Collagen Type-1のダウンレギュレーション ( $p < 0.01$ )
  - TIMP-1のダウンレギュレーション ( $p < 0.001$ )



# IPF(特発性肺線維症)とは？

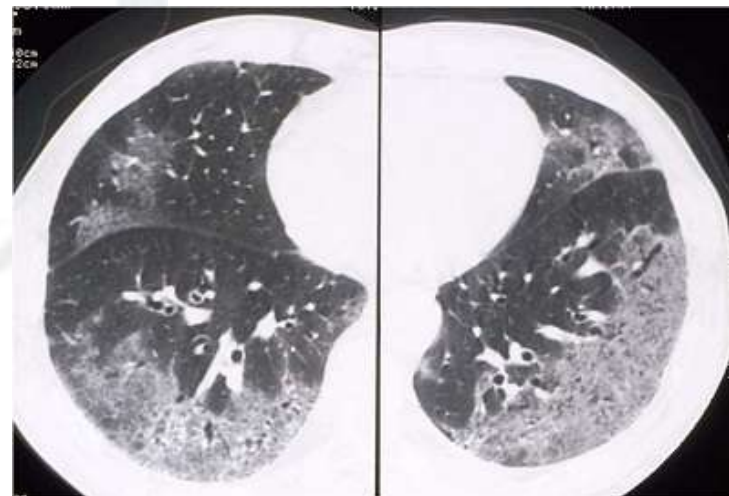
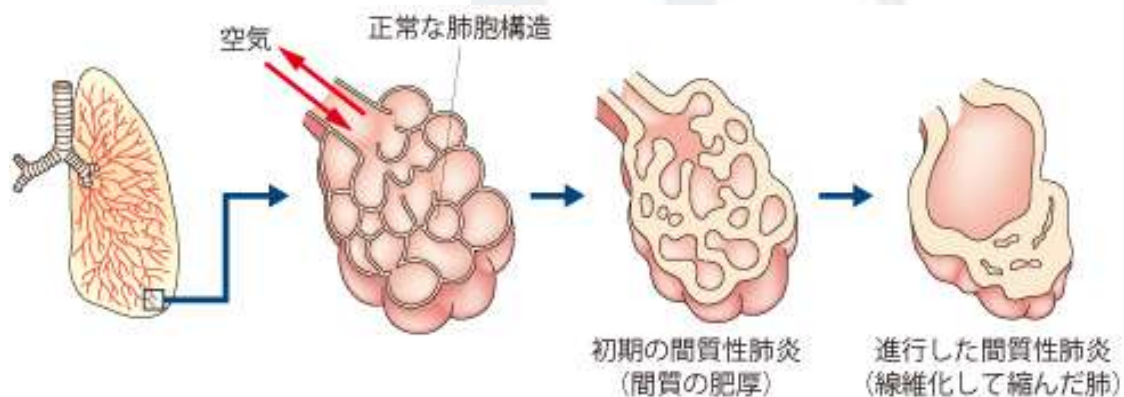
## IPF (Idiopathic Pulmonary Fibrosis) :

原因不明の肺実質の線維化疾患

進行性で致命的疾患、多くが診断から5年以内に死亡

アメリカでの罹患者は130,000人程度、稀な疾患（オルファン ドラッグ）

現在、FDAに承認されている治療薬はなし





# IPF動物モデル試験について

## IPF動物モデル試験のデザイン

- ✓ ブレオマイシン吸入により線維化を引き起こし、IPFに類似した病態進行を短時間で発症することを特徴としたマウスのIPFモデル
- ✓ 3種類の異なる薬用量(1日1回30,100,300 mg/kg)のMN-001を14日間投与
- ✓ 治療効果: 肺組織染色検査、肺ハイドロキシプロリン(コラーゲン主要成分)、肺組織細胞から抽出されたコラーゲン関与遺伝子解析



# IPF動物モデル試験結果

## 肺組織検査の結果

1. 肺の線維化スコア( Ashcroft score) の改善 ( $p < 0.05$ )
2. 肺ヒドロキシプロリン量の低下 ( $p < 0.01$ )

線維化が起きている病態モデルにおいて有意に線維化改善が観察された  
”予防効果“ではなく ”治療効果“が確認された

## 2014年下期の開発予定



## 2014年下期の開発予定

1. 現在進行中の治験プログラムのクローズなモニター  
進行型MS, 覚醒剤中毒, ヘロイン・麻薬中毒, アルコール中毒
2. MN-166 新しい適応症での治験開始 (現在 準備中)
3. MN-001 NASH適応のフェーズ2a臨床治験の準備 (Type B meeting scheduled)
4. MN-001 線維性疾患での開発開始 (ODD申請)

# 2014年12月期第2四半期決算の状況



# 2014年12月期第2四半期決算業績

		2014年度上期	2013年度下期	前期比 (%)
売上高 (営業収益)	千米ドル	—	6,000	100%減少
	百万円	—	617	
営業利益	千米ドル	△4,495	1,185	479%減少
	百万円	△462	122	
純利益	千米ドル	△4,474	1,177	480%減少
	百万円	△460	121	

## 営業収益: 0千米ドル

〈前期比: 6.00百万米ドル(約6.2億円)減少〉

## 営業利益: △4,495千米ドル

〈前期比: 5.68百万米ドル(約5.8億円)減少〉

## 純利益: △4,024千米ドル

〈前期比: 5.65百万米ドル(約5.8億円)減少〉

## 結果:

- 今上期の営業費用は前下期の営業費用4,815百万米ドルとほぼ同水準の着地となった

為替レートは2014年7月31日  
三菱東京UFJ銀行のTTM1ドル=102.85円を使用





# 2014年12月期第2四半期業績の予実対比

(千米ドル)	2014年12月期 第2四半期 業績実績	2014年3月28日発表 の2014年12月期 第2四半期業績予想	増減額(%)
売上高 (営業収益)	—	—	±0(±0%)
営業利益	△4,495	△4,615	+120 (+2.6%)
純利益	△4,474	△4,615	+141(+3.1%)

**営業損失予実対比:0.1百万米ドル減少**

**純損失予実対比:0.1百万米ドル減少**

- 第2四半期の営業損失、純損失ともに3月28日発表の業績予想とほぼ同水準となった
- 通期業績予想に変更なし



# 要約貸借対照表

(千米ドル)	14年6月	13年12月	増減
現金及び現金同等物	13,497	6,700	+6,796
未収債権(純額)	—	6,009	△6,009
前払費用及びその他の流動資産	908	1,674	△766
のれん(アヴィゼン関連)	9,600	9,600	—
仕掛研究開発費	4,800	4,800	—
中国JV投資	683	681	+2
有形固定資産(純額)及び保証金	76	82	△6
<b>資産合計</b>	<b>29,564</b>	<b>29,546</b>	<b>+18</b>
支払債務	38	34	+4
未払費用	634	240	+393
未払給与及び関連費用	425	186	+238
短期および長期繰延収益、賃料	1,711	1,704	+7
繰延税金負債	1,956	1,956	—
<b>負債合計</b>	<b>4,763</b>	<b>4,120</b>	<b>+643</b>
優先株式(額面0.01米ドル)	2	2	—
普通株式(額面0.001米ドル)	24	22	+2
払込剰余金	330,713	326,869	+3,844
その他包括損失累計額	△77	△81	+3
開発段階での累損欠損	△305,861	△301,387	△4,474
<b>株主資本合計</b>	<b>24,801</b>	<b>25,426</b>	<b>△625</b>
<b>負債及び株主資本合計</b>	<b>29,564</b>	<b>29,546</b>	<b>+18</b>

## 現金及び現金同等物+未収債権: 13.5百万米ドル

〈前期末比: 0.8百万米ドル(約0.8億円)増加〉

- 2015年6月30日までの運転資金を十分にカバー
- ジェンザイム社からのマイルストーンに関する未収債権6.0百万米ドルが上半期中に現金回収されたことにより、現金及び現金同等物が6.0百万米ドル増加

## 負債合計: 4.8百万米ドル ※有利子負債は引き続きゼロ

〈前期末比: 0.6百万米ドル(約0.7億円)増加〉

- 臨床治験薬の第2四半期末を挟んだ納品、支払により未払費用0.25百万米ドルを今期計上したこと等を主な要因とする増加

## 株主資本合計: 24.8百万米ドル

〈前期末比: 0.6百万米ドル(約0.6億円)減少〉

- 開発段階での累損欠損4.5百万米ドル増加
- 新株購入契約を実行したこと等により、2014年上期中に1.65百万株の普通株を発行、これにより払込剰余金が3.8百万米ドル増加



# 要約損益計算書

\*左記要約損益計算書は説明上重要性の高い一部の項目のみ記載しております。

(千米ドル)	2014年度 上期	2013年度 下期	増減
売上高(営業収益)	—	<b>6,000</b>	<b>△6,000</b>
研究開発費	1,584	1,724	△140
一般管理費	2,911	3,091	△180
営業費用合計	<b>4,495</b>	<b>4,815</b>	<b>△320</b>
営業利益	<b>△4,495</b>	<b>1,185</b>	<b>△5,680</b>
その他の損益	21	△8	+29
当期純利益	<b>△4,474</b>	<b>1,177</b>	<b>△5,651</b>

**売上高(営業収益): 0千米ドル**

〈前下期比: 6.0百万米ドル(約6.2億円)減少〉

– 前下期はジェンザイム社からのマイルストーン収入6百万米ドルが計上されたが、今上期はマイルストーン等が発生しなかったため

**一般管理費: 2.9百万米ドル**

〈前下期比: 0.2百万米ドル増加〉

– 専門家報酬の削減と継続的なコスト抑制効果により0.2百万米ドル減少

# メディシノバの株価状況



# 1株当たり指数と時価総額

三菱東京UFJ銀行の為替レート(TTM)を使用  
2014年7月31日、1ドル=102.85円

2014年6月（第2四半期末）	2013年6月（前第2四半期末）	（百万円）	2014年6月	2013年6月	増減	単位
(貸借対照表イメージ図)						
<p>固定資産 15,160</p> <p>資本 24,801</p> <p>負債 4,763</p> <p>(内)現預金 13,497</p>	<p>固定資産 15,146</p> <p>資本 22,951</p> <p>負債 4,726</p> <p>(内)現預金 12,017</p>	現金及び現金同等物	13,497	12,017	1,480	千米ドル
		資本合計	24,801	22,951	1,850	千米ドル
		1株当たり純資産	2,551	2,361	190	百万円
		1株当たり現金及び現金同等物	1.03	1.04	△0.01	米ドル
		株価	106	107	△1	円
			58	56	2	円
		発行済株式数	24,146,419	22,148,493	+1,997,926	株
			2014年6月30日終値	2013年6月28日終値		
		ナスダック	2.03	2.63	△0.60	米ドル
		ジャスダック	214	244	△30	円
		時価総額	49,017	58,251	△9,234	千米ドル
			5,167	5,404	△237	百万円



# JASDAQとNASDAQ市場の株価比較

1日あたりの平均出来高





コード:4875

JASDAQ証券コード:4875



ナスダック Ticker:MNOV