



コード:4875



MEDICINOVA

MNOV
NASDAQ[®]
LISTED

2019年12月期 第2四半期 決算説明会

岩城裕一

(代表取締役社長 兼 CEO)

松田和子

(取締役 兼 CMO 東京オフィス代表 副社長)

2019年7月29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

4275 Executive Square, Suite 300, La Jolla,
California 92037, USA

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5F

設立年月日

2000年9月26日

資本の部

73,181,650米ドル (約79.7億円)
(2019年6月末時点)

上場市場

- 2005年2月8日 東証JASDAQ市場上場
- 2006年12月7日 米国NASDAQ市場上場

主な事業内容

医薬品の開発



執行役員

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歴任、ジャフコ、日本政策
投資銀行顧問役

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、
ロサンゼルス小児病院
ロマリダ大学小児病院

ジェフリー・オブライアン
副社長
管理部門担当

UBS, DLJ/クレディ・スイス・ファースト・ポストン、野村、
バンク・ズィーガルの株式アナリスト

カーラ・ライエス
チーフ・ファイナンシャル・オフィ
サー (CFO)

サンディエゴ小児病院、
シグニチャー・アナリティクスCFO

(独立) 取締役

ジェフ・ヒマワン
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

小林温
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)

石坂芳男
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

長尾秀樹
取締役

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



本日のアジェンダ

- ◆ 2019年 上半期のハイライト
- ◆ 2019年12月期 上半期決算状況
- ◆ 主要プログラムの開発状況
- ◆ 今後の開発プラン
- ◆ 質疑応答



MEDICINOVA

2019年 上半期 ハイライト



2019年上半期 事業進捗のハイライト

MN-001

3月6日 東京慈恵会医科大学との共同研究が開始された

MN-166

– 神経膠芽腫 (グリオブラストーマ、Glioblastoma)

1月9日 再発性グリオブラストーマを対象とした患者登録が開始された

– 変性性頸椎脊椎症 (DCM)

5月8日 DCMを対象としたフェーズ3臨床治験のキックオフミーティングが行われた

– 筋萎縮性側索硬化症 (ALS)

4月16日 ALSを対象としたフェーズ2 b/3臨床治験プロトコールのFDA審査が終了した

6月6日 ALSを対象としたフェーズ2 b/3臨床治験のキックオフミーティングが行われた

– 進行型多発性硬化症 (Progressive MS)

4月2日 SPRINT-MSフェーズ2b臨床治験サブグループの解析が発表された



2019年上半期 特許取得に関するハイライト

MN-001

- 1月8日 MN-001及びMN-002の“線維症・線維化疾患”を適応とする特許を日本で取得
- 4月4日 MN-001が高中性脂肪血症、高コレステロール血症及び高リポタンパク血症を適応とする特許を中国で取得

MN-166

- 1月22日 MN-166とリルゾール併用療法でのALS（筋委縮性側索硬化症）およびその他の神経変性疾病を適応とする特許をアメリカで取得
- 4月24日 MN-166のグリオブラストーマ（神経膠芽腫）を適応とする特許をアメリカで取得



2019年上半期 論文発表・学会発表のハイライト

論文

3月1日 「In Vitro、及び動物モデルにおけるグリオブラストーマに対するMN-166の抗腫瘍効果」に関する論文が「Scientific Report」誌に掲載された。

学会発表

5月7日 「イブジラストの進行型多発性硬化症を適応とするフェーズⅡ臨床治験について進行型のタイプ別の成績について」という演題で、第71回アメリカ神経学会年次総会において口頭発表された。

5月8日 「Effect of Ibudilast on Macular Measures in Progressive MS: OCT Analysis from a Phase 2 Trial」という演題で、第71回アメリカ神経学会年次総会においてポスター発表された。

5月8日 「Effect of Ibudilast on Neurofilament-Light Chain in Progressive MS: Analysis from a Phase II Trial」という演題で、第71回アメリカ神経学会年次総会においてポスター発表された。



MEDICINOVA

2019年 上半期 決算状況



2019年12月期 上半期決算業績

		2019年12月期 第2四半期 (当期)	2018年12月期 第2四半期 (前期)	前期比 (%)
売上高 (営業収益)	千米ドル	-	-	-
	百万円	-	-	
営業損失	千米ドル	9,161	8,067	13.6%増加
	百万円	987	870	
純損失	千米ドル	8,579	7,687	11.6%増加
	百万円	925	829	

営業収益：0千米ドル

〈前期比：±0百万米ドル〉

営業損失：9,161千米ドル

〈前期比：1.09百万米ドル約1.2億円〉増加

純損失：8,579千米ドル

〈前期比：0.9百万米ドル（約1.0億円）増加

結果：

- 業績目標に対する達成度に基づく発行済みストック・オプションの会計上の評価額が前期に比べて上昇し、費用計上額が増加したことを主な要因に営業損失が1.09百万米ドル増加。

為替レートは2019年6月28日
三菱UFJ銀行のTTM1ドル=107.79円を使用



貸借対照表 (要約)

– Balance Sheet –

(千米ドル)	2019年6月末	2018年12月末	増減
現金及び現金同等物	61,738	62,313	△575
前払費用及びその他の流動資産	513	445	+68
のれん	9,600	9,600	—
仕掛研究開発費	4,800	4,800	—
有形固定資産 (純額)	45	53	△8
その他の長期資産	456	11	+445
資産合計	77,152	77,223	△71
買掛債務	328	617	△289
未払債務及びその他の流動負債	1,462	1,575	△113
長期繰延収益	1,694	1,694	—
繰延税金負債	202	202	—
その他の長期負債	284	27	+257
負債合計	3,970	4,115	△145
普通株式(額面0.001米ドル)	43	42	+1
払込剰余金	437,940	429,290	+8,650
その他の包括損失累計額	△92	△93	+1
累積欠損	△364,710	△356,131	△8,579
株主資本合計	73,182	73,108	+73
負債及び株主資本合計	77,152	77,223	△72



損益計算書（要約）

– Income Statement –

(千米ドル)	2019年12月期 第2四半期 (当期)	2018年12月期 第2四半期 (前期)	増減
売上高	-	-	-
営業費用			
研究開発費	3,099	3,041	+58
一般管理費	6,062	5,026	+1,036
営業費用合計	9,161	8,067	+1,094
営業損失	9,161	8,067	+1094
その他費用(△)	△30	△2	△28
受取利息	612	382	+230
当期純損失	8,579	7,687	+892
四半期純損失の計算に 使用した株式数	42,770	40,352	
基本及び希薄化後 1株当たり純損失	△0.20	△0.19	

研究開発費：3.1百万米ドル
〈前期比：0.1百万米ドル 増加〉

一般管理費：6.1百万米ドル
〈前期比：1.0百万米ドル 増加〉

– 業績目標に対する達成度に基づく（一般管理業務にかかわる）役職員への株式報酬の評価額が上昇し、費用計上額が増加したこと。



キャッシュ・フロー計算書（要約）

– Statement of Cash Flow –

(千米ドル)	2019年12月期 第2四半期 (前期)	2018年12月期 第2四半期 (前期)
営業活動によるキャッシュ・フロー	△4,682	△5,734
投資活動によるキャッシュ・フロー	△4	626
財務活動によるキャッシュ・フロー	4,109	41,278
現金に係る換算差額	1	1
現金及び現金同等物の増減額	△576	36,171
現金及び現金等々物の期首残高 (Jan 01)	62,313	27,992
現金及び現金同等物の期末残高 (June 30)	61,738	64,163



MEDICINOVA

主要プログラム 開発状況



- ◆ **現在進行中の臨床の進捗状況**
 - MN-166
 - MN-011
- ◆ **ALS、進行型MSの治験計画、今後の開発プラン**



現在実施中臨床治験一覧

※ NINDS : 米国国立神経疾患脳卒中研究所
 NIDA : 米国国立薬物濫用研究所
 NIAAA : 米国国立アルコール濫用/依存症研究所
 VA : 米国退役軍人省
 NIHR : 英国国立衛生研究所

コアプログラム/ インディケーション	FDA指定	Phase 2	Phase 3
MN-166 経口 抗炎症 / 神経保護作用			
ALS / バイオマーカー マサチューセッツ総合病院 (MGH)	★ ★	最終患者登録完了	
化学療法誘発性末梢神経障害 シドニー大学 (コンコルド癌センターからの助成金)			
グリオブラストーマ ダナ・ファーバー 癌センター	★		
DCM (変性頸椎脊髄症) ケンブリッジ大学 (NIHRからの助成金)			
覚醒剤 (メタンフェタミン) 依存症 オレゴン保健科学大学 (NIDA / VAからの助成金)	★		
アルコール依存症 UCLA (NIAAA からの助成金) UCLA (NIDAからの助成金)			
MN-001 経口 抗炎症 / 抗線維化			
NASH (非アルコール性脂肪性肝炎) / NAFLD 高中性脂肪症		データベース ロック	
IPF (特発性肺線維症) ペンシルバニア州立大学	★ ★		

★ オーフアンドラッグ指定

★ ファストトラック指定



ALS フェーズ2 バイオマーカー臨床治験

ALS フェーズ2 バイオマーカー臨床治験デザイン

パートナー

デザイン	ALS患者 非盲検 フェーズ2臨床治験／マサチューセッツ総合病院 主任治験医師：スマー・バブー医師 期間：36週間 患者数：35名 投与量：100mg/日
目的	主要評価項目： ・ グリア活性抑制効果をPETスキャンで評価 ・ 神経炎症 血液バイオマーカーへの影響 副次的評価項目：臨床効果 ・ ALS機能評価スケール（ALSFRS-R）、肺活量（SVC）、筋力など
現況	実施中 最終患者の最終受診 終了



MASSACHUSETTS
GENERAL HOSPITAL



HARVARD
MEDICAL SCHOOL



化学療法誘発性末梢神経障害 フェーズ2 臨床治験

化学療法誘発性末梢神経障害 フェーズ2 臨床治験デザイン

	転移性消化器癌（大腸・直腸・結腸・上消化器癌）化学療法としてオキサリプラチンを投与される患者
デザイン	非盲検・クロスオーバー／シドニー大学 コンコルド癌センター 主任治験医師：ジャネット・バーディー医師 期間：3ヶ月 患者数：20名 投与量：60mg/日
目的	評価項目 ・ オキサリプラチンによる急性末梢神経障害への予防効果 ・ オキサリプラチン・フルオロウラシルと併用した場合の薬物相互作用 ・ 化学療法誘発性末梢神経障害の症状緩和への効果
現況	実施中

パートナー



THE UNIVERSITY OF
SYDNEY





グリオブラストーマ フェーズ1/2 臨床治験

グリオブラストーマ フェーズ1/2 臨床治験デザイン

パートナー

デザイン

再発性グリオブラストーマ患者

非盲検、Dose-Escalation (Part1) Fixed -dose (Part2)
ダナ・ファーマー 癌センター
主任治験医師：パトリック・ウエン医師
期間：1 - 6ヶ月 患者数：15-18名 (Part1) 32名 (Part2)
投与量：60mg/日～

目的

評価項目

- テモゾロミドとの併用療法での安全性・耐受性
- テモゾロミドと併用した場合の薬物相互作用
- 腫瘍無増悪、生命予後への効果

現況

実施中





DCM (変性頸椎脊椎症) フェーズ3 臨床治験

DCM (変性頸椎脊椎症) フェーズ3 臨床治験デザイン

パートナー

デザイン

手術予定のDCM患者

プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ3臨床治験
英国 ケンブリッジ大学
主任治験医師：マーク・コッター医師
期間：術前 2 - 3ヶ月、術後 6か月
患者数：25 - 80名 (Part1) 362 (Part1 + 2)
投与量：60mg/日～

目的

評価項目

- mJOAスケールの変化
- VAS 頸部の痛み

現況

プレスクリーニング中

NIHR | National Institute
for Health Research



**UNIVERSITY OF
CAMBRIDGE**



覚醒剤依存症 バイオマーカー 臨床治験

覚醒剤依存症フェーズ2臨床治験デザイン

パートナー

デザイン

リハビリ施設入院中の覚醒剤依存症患者（現在は覚醒剤離脱中）

プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ 2 臨床治験
オレゴン保健科学大学
主任責任医師： ミルキー・コウノ博士、ウィリアム・ホフマン医師
期間：6週 患者数：65名
投与量：100mg/日

目的

評価項目
磁気共鳴分光法（MRS）、陽電子放出断層撮影表（PET）、機能的磁気共鳴イメージング（fMRI）を用いて腹側線条体反応を評価
MN-166の神経炎症抑制効果が脳機能、腹側線条体に変化

現況

実施中





アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験 ①

アルコール剤依存症 フェーズ2 臨床治験デザイン

パートナー

治療を受けていない中等度から重度のアルコール摂取障害の被験者
(外来治療)

デザイン

プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ2臨床治験
UCLA
主任責任医師：ララ・レイ博士
期間：14日間 患者数：50名
投与量：100mg/日

目的

評価項目：
• 禁酒による禁断症状の基礎レベルを減少させるか
• 禁断症状を鈍化させる効果を評価
• アルコール離脱症状として不安症状を持つ患者におけるMN-166の効果を評価

現況

実施中



David Geffen
School of Medicine





アルコール依存症 フェーズ2 臨床治験 ②

アルコール剤依存症 フェーズ2 臨床治験デザイン

治療を受けていない中等度から重度のアルコール摂取障害の被験者
(外来治療)

デザイン

プラセボ対照・無作為二重盲検フェーズ2臨床治験
UCLA
主任責任医師：ララ・レイ博士
期間：12週間 患者数：132名
投与量：100mg/日またはプラセボ

目的

評価項目：
• アルコール摂取量の変化
• 多量摂取の減少
• 1日当たりの摂取量
• アルコール非摂取の度合い
その他
• 不安症状、神経炎症状発現の有無

現況

実施中

パートナー



David Geffen
School of Medicine





NASH/NAFLD・高中性脂肪血症 フェーズ2 臨床治験

NASH / NAFLD フェーズ2臨床治験デザイン

パートナー

デザイン

高中性脂肪血症を伴うNASH/NAFLD患者を対象

多施設、非盲検フェーズ2臨床治験

投与：最初の4週間、1日1回、250mgのMN-001を服薬し、
続く8週間は1日に2回、250mgのMN-001を服薬

目的

評価項目：

- 血清中性脂肪値に対する効果
- コレステロール流出能の評価

副次的評価項目：

- 安全性及び認容性、薬物動態、HDLまたはLDLコレステロール値、
総コレステロール値、肝酵素値、肝臓内脂肪率の変化

現況

データロック終了、次の治験（共同研究の協議中）



Liver Research Consortium
Your Link to a Successful Clinical Trial



IPF（特発性肺線維症） フェーズ2 臨床治験

IPF（特発性肺線維症）フェーズ2臨床治験デザイン

パートナー

デザイン

中等度から重度のIPF（特発性肺線維症）

プラセボ対照・無作為二重盲検／非盲検フェーズ2臨床治験

ペンシルバニア州立大学ミルトン・S・ハーシーメディカルセンター

主任治験責任医師：レベッカ・バスコム博士

期間：6か月の二重盲検比較期間 + 6か月非盲検

投与：MN-001（1日2回×750mg）またはプラセボ 2:1の比率

目的

主要評価項目：

- 努力肺活量、および努力肺活量の予測パーセント値の変化

副次的評価項目：

- 安全性及び認容性
- 臨床効果

6分間歩行テスト（6MWT）呼吸困難スケール(MMRC)

特発性肺線維症QOL評価ツール（ATAQ-IPF）など

現況

実施中





ALS 開発プラン



これまでの経緯

- 2019年3月 FDAからのフィードバックを基に、ALS2301治験プロトコール提出
- 2019年4月 FDAのプロトコールレビュー完了
- 2019年5月 MT社がALS治療薬（日米で承認済）のEMAへの上市申請を取り下げ
- 2019年6月 欧州圏内での治験実施を検討、ポテンシャルな治験サイトのリサーチ
- 2019年7月 プロトコール改訂



ALS2301 臨床治験概要

ALS2301 study2 臨床治験概要

デザイン

ALS（*発症部位での登録制限なし）

プラセボ対照・無作為二重盲検／オープンレーベル エクステンション

多施設、北米、ヨーロッパ

期間：12か月の二重盲検比較期間 + 6か月非盲検

投与：MN-166（～100mg/日）またはプラセボ

目的

主要評価項目：

- ALSFRS-R の変化

副次的評価項目：

- ALSAQ-5（主観的QoL）
- HHS（筋力テスト）
- Survival（死亡、人工呼吸器依存または気管切開までの時間）
- 安全性及び認容性

現況

治験準備中



進行型MS 開発プラン



これまでの経緯

- 2017年10月 ECTRIMSでの脳委縮プレミナリーデータ解析結果発表
- 2018年2月 ACTRIMSでの身体障害EDSSのプレミナリーデータ解析結果発表
- 2018年4月 AAN年次総会プレナリーセッションでの発表
- 2018年8月 SPRINT-MSの治験結果がNEJMに掲載
- 2018年9月 最終的な治験データを受領
- 2018年9月 N社がSPMSを適応にNDA申請
- 2019年3月 FDAが新薬を再発SPMSの適応で承認
- 2019年4月 サブグループ解析結果（PPMS, SPMS with relapse, SPMS w/o relapse）を発表
- 2019年7月 FDAからのフィードバックを基に次のSPMS w/o relapse 治験計画を発表



SPMS w/o relapse 臨床治験概要

Non-relapse SPMS study 3 臨床治験概要

デザイン

再発の無いSPMS

プラセボ対照・無作為二重盲検

多施設、北米、ヨーロッパ

期間：24か月の二重盲検比較期間

投与：MN-166（～100mg/日）またはプラセボ

目的

主要評価項目：

- EDSS評価による3か月持続する身体障害進行リスク

副次的評価項目：

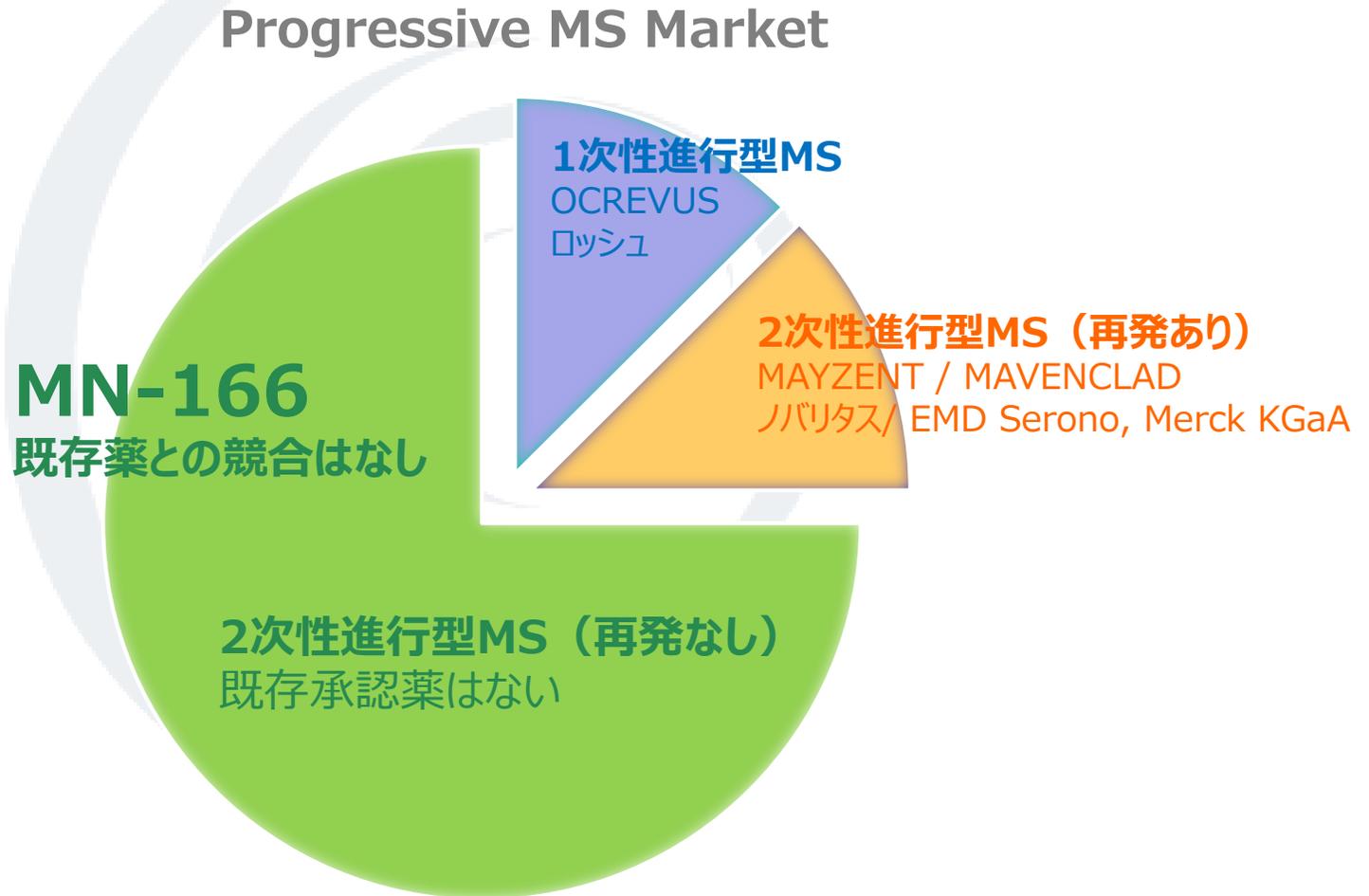
- MSQoL（主観的QoL）
- 25 Foot Walk test（歩行テスト）
- 安全性及び認容性

現況

治験計画詳細検討中



進行型MSの承認薬と患者比率について





質 疑 応 答