

株主のみなさまへ

平素は格別のお引き立てにあずかり厚くお礼申し上げます。

当社メディシノバにとって2021年を飛躍の年にするという強い決意のもとに、年初からプロジェクトの進捗に取り組んでまいりました。早いもので、2021年も4か月が経過し、既に5月に入りましたが、年初に立てたゴールを達成すべく努力を重ねてまいりましたので、ここで、2021年のこれまでの出来事を振り返り、2021年度の後半に向けての方向性をお伝えさせていただきます。

まず、大きな出来事は、2月25日にお知らせさせていただきましたように、東京証券取引所による審査をクリアし、2021年2月26日付で監理銘柄指定解除の通知を受けたことです。2020年12月28日付で監理銘柄に指定され、株主の皆様にご多大なるご不安とご心配をおかけしましたこと、あらためてお詫び申し上げます。

一方、財務面では、1月12日および2月1日にお知らせさせていただきましたように、3D・オポチュニティー・マスター・ファンドに対する第三者割当を実施し、約20百万米ドルの増資を行いました（以下「第三者割当増資」といいます）。また、4月22日にお知らせいたしましたように、Sanofi社に導出していたAAV技術による遺伝子治療関連プロジェクトが進捗したことにより、Sanofi社より4百万米ドルのマイルストーン（医薬品の開発段階毎に設定した目標を達成するごとに得られる一時金収入）を受領いたしました。第三者割当増資と合わせて24百万米ドル（邦貨換算で約26億円）の資金が当社に払い込まれ、プロジェクトを更に前に進めることができるようになりました。

次に、事業関連、特に新しい特許承認についてご説明させていただきます。

1月19日公表のお知らせのとおり、MN-166（イブジラスト）とリルゾールの併用療法によるALS（筋萎縮性側索硬化症）を適応として出願中であった特許に対して、日本国特許庁より承認の通知がありました。また5月には、同じ適応に対する特許が欧州でも認められました。この適応に対する特許は、先に米国でも承認（2019年1月22日公表の適時開示）されており、2021年に日本および欧州でも承認されたことは、ほぼ全世界をカバーしたという意味で、しかもこれらの特許が2034年あるいは2035年までカバーされるということからも、当社にとっては非常に重要な出来事でした。何度も検討を重ねて練った特許戦略の賜物と考えております。

さらに特筆すべきは、3月10日にお知らせいたしましたように、化学ガス暴露脅威の治療法の共同開発のために米国保健福祉省（HHS）・米国生物医学先端研究開発機構（BARDA）と共同研究・共同開発の提携がなされたことです。BARDAは、産業界のパートナーと協力して、米国の国民を守り、21世紀の健康安全保障上の脅威に対応するための医療対策の先進的な開発を推進する米国連邦政府の国家機関です。今回、私たちとの共同開発は化学ガス、特に塩素ガスに誘発される肺機能障害に対するものですが、BARDAは、化学・生物・放射線・核による事故や事件、あるいは攻撃に対する防備だけでなく、今回のコロナパンデミックやインフルエンザパンデミックあるいはエボラなどの新興感染症などの公衆衛生医療緊急事態に必要なワクチン、医薬品、治療法、診断ツールの開発を統合的かつ体系的に行っていますので、BARDAと共同研究・共同開発の提携がなされたことは、当社のプロジェクトの有効性についてアメリカ国家機関から認められたこととして、とても意義のあることと考えておりますし、BARDAと協力して塩素ガスに誘発される肺機能障害に対する治療薬の開発に向けて邁進したいと考えております。

次に、当社の臨床治験プロジェクトについてご説明させていただきます。

ペンシルバニア州立大学 Hershey Medical Center で行われておりました MN-001（タイペルカスト）に

よる特発性肺線維症の治験が終了しました。現在データ解析中でございます。MN-166（イブジラスト）の臨床治験ですが、筋萎縮性側索硬化症（ALS）は米国およびカナダの計 21 カ所の医療センターで第 3 相治験が進行中です。予定通り、本治験の患者登録が 2023 年 12 月に完了できるよう、チームメディシノバー一体となってフォローしております。もう一つの第 3 相治験である変性性頸椎椎症を対象とした臨床治験は、マーク・コッター博士をリーダーとしてケンブリッジ大学およびケンブリッジ大学の関連施設で進められております。その他にも、シドニー大学コンコルド癌センター教授ジャネット・バーディー博士の主導により、癌の化学療法によって誘発される末梢神経障害を対象とした第 2 相の多施設臨床治験も進めておりますし、ハーバード大学附属病院のダナ・ファーバーにおいて実施されているグリオブラストーマを対象とした臨床治験も順調に進行しております。また、UCLA ではアルコール依存症をターゲットとした第 2 相の治験が、オレゴンヘルスサイエンス大学では覚せい剤依存症をターゲットとした治験が進行中です。イエール大学医療センターとコロラド大学医療センターで実施中の SARS-Covid-19 感染に誘発される ARDS（急性呼吸窮迫症候群）を対象とした第 2 相治験も着実にプロジェクトが進行中です。

これら進行中の臨床治験のほかに、新たな二つの臨床治験プロジェクトの準備も進めております。一つは、MN-001（タイペルカスト）の NASH（非アルコール性脂肪性肝炎）を対象とする臨床治験、もう一つは、MN-166（イブジラスト）のグリオブラストーマを対象とした臨床治験で、グリオブラストーマについては承認申請に直結する最終の試験と考えております。いずれも、第三者割当増資の資金使途として皆様にお伝えしておりましたが、治験開始に向けた準備は順調に進捗中でございます。

最後になりましたが、進行型多発性硬化症（MS）をターゲットとした臨床治験について述べさせていただきます。

New England Journal of Medicine 誌に掲載されましたように、SPRINT-MS と呼ばれた MN-166（イブジラスト）の多発性硬化症を対象とした第 2 相治験は、多くのポジティブなデータを提供してくれました。さらに、昨年 11 月にお知らせいたしましたが、すべての OCT 法（Optical coherence tomography；光干渉断層撮影法）で測定した結果を検討したところ、MN-166（イブジラスト）治療群ではプラセボ群と比較して網膜組織の喪失が統計学上少ないことが示されました。SPRINT-MS は米国 NIH 傘下の NuroNEXT という組織から邦貨換算で約 12 億円の資金提供を受け実施された治験でした。米国の税金が投じられて行われた臨床治験から得られたこのようなポジティブな結果を基に、次のステップを計画することは自然な流れであり、使命でもあると考えます。ですので、当社は、導出・共同開発という選択を主線としつつ、自社で実施可能な第 3 相治験についてもあらためて検討し、その計画を立案中であることをお伝えさせていただきます。

新型コロナウイルスが依然猛威を振るっております。株主の皆様におかれましては、くれぐれもご自愛されますよう心より祈念し、私からのご挨拶とさせていただきます。

2021 年 5 月吉日

メディシノバ・インク
代表取締役社長兼 CEO
岩城 裕一