

各 位

会社名 MediciNova, Inc
代表者名 代表取締役社長兼 CEO 岩城 裕一
(コード番号: 4875 東証スタンダード)
問合せ先 東京事務所代表 副社長 松田 和子
兼最高医学責任者 (CMO)
電話: 03-3519-5010
E-Mail: infojapan@medicinova.com

**遺伝子治療基盤技術の導出先 Sanofi S.A.による AAV を用いた
フェニルケトン尿症を対象とする遺伝子治療の臨床治験開始に関するお知らせ**

2023年10月26日 米国 ラ・ホイヤ発 - メディシノバ (MediciNova, Inc.) (米国カリフォルニア州 ラ・ホイヤ、代表取締役社長兼 CEO: 岩城裕一) (以下「当社」といいます。) は、本日、Sanofi S.A.*¹の子会社である Genzyme Corporation (以下「Genzyme 社」といいます。) が、フェニルケトン尿症 (PKU)*² 治療薬 SAR444836 の臨床試験*³ (以下「本臨床試験」といいます。) において、第一例目の患者に対する治療を実施したことについて発表したことをお知らせいたします。

SAR444836 は、AAV (Adeno-Associated Virus ; アデノ随伴ウイルス)*⁴ ベクター技術に基づくフェニルアラニン水酸化酵素 (PAH) 代替遺伝子治療薬であり、当社と Genzyme 社間における AAV ベクター技術の譲渡契約*⁵ に基づくものです。今後、当社は、本臨床試験の開発進捗に応じてマイルストーン (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) 及びロイヤリティ (医薬品として上市後に販売額に応じて得られる収入) を受領する可能性があります。

なお、本件が当社の 2023 年 12 月期の業績に与える影響につきましては、2023 年 10 月 5 日公表「Sanofi S.A.からのマイルストーンの受領に関するお知らせ」のとおり、マイルストーンの受領により 1 百万米ドル (約 1.5 億円) を 2023 年 12 月期の営業収益として計上予定であります。2023 年 12 月期の連結業績予想につきましては、具体的な売上高及び営業利益の予想値を公表することが、当社が進めております提携及び導出活動における価値の最大化を阻害する要因となる可能性が想定されること、また、提携契約の締結に至った場合、契約の内容によっては 2023 年 12 月期において見込んでいた研究開発費の一部が相手方負担となる可能性もあり、連結業績の合理的な予測が困難な状況であることから、現時点においては今期の業績予想を非開示としております。

今後、開示すべき事項が生じた場合は速やかにお知らせいたします。

以上

*** 1 Sanofi S.A.について**

Sanofi 社は、フランス・パリを本拠とする製薬・バイオテクノロジー企業です。

神経疾患、免疫疾患、先天性疾患・希少疾患、オンコロジー、糖尿病、循環器疾患、内科系疾患領域の医療用医薬品やワクチンなど、幅広い領域の製品を開発・販売しており、医薬品販売では世界有数の規模を誇ります。ユーロネクスト・パリ、フランクフルト証券取引所、ロンドン証券取引所、ニューヨーク証券取引所に株式を上場しています。

*2 フェニルケトン尿症 (PKU)

PKU は稀な先天性遺伝疾患の一つで、必須アミノ酸の一つであるフェニルアラニンを代謝する酵素の異常のために、フェニルアラニンがうまく代謝されずに体内に蓄積することで精神発達の異常などをきたす疾患です。フェニルアラニンは、肉、卵、チーズ、ナッツ類など、タンパク質を含む多くの食品に含まれています。治療しないと、フェニルアラニンが体内に蓄積し、知的障害、発作、精神障害などの深刻な症状引き起こします。フェニルアラニンの摂取を抑える食事治療を行い、不足する他の必須アミノ酸を補うことで治療します。生後すぐに行われる新生児マススクリーニングで発見することができるため、ほぼ 100%が早期に診断され、治療が開始されますが、注意深い食事治療は生涯にわたって必要です。

*3 フェニルケトン尿症 (PKU) を対象とする SAR444836 の臨床試験について

本臨床試験に関する情報は以下の Web サイトをご参照ください。

<https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05972629?cond=Phenylketonuria&intr=SAR444836&rank=1>

*4 AAV (Adeno-Associated Virus ; アデノ随伴ウイルス) について

アデノ随伴ウイルス (AAV) はヒトに感染する小型のウイルスですが、病原性がなく、分裂期にある細胞にもそうでない細胞にもゲノムを送り込むことができるため、ベクターウイルスとして遺伝子治療などに用いられます。正常な遺伝子が組み込まれた AAV は、その遺伝子が欠損していたり、あるいは遺伝子に欠陥があることで正常なたんぱく質を合成することができない組織、細胞に対して、正常な遺伝子を効率的に届ける役割を担い、正常なたんぱく質を合成します。AAV は、遺伝子を安全に、しかも容易に患者さんの細胞に届けることができるため、近年この方法を利用して多くの病気を治療できる可能性が示唆されています。

*5 AAV ベクター技術の譲渡契約について

当該技術の譲渡契約は、当社子会社の Avigen,inc. が Sanofi 社の子会社である Genzyme 社に対して、遺伝子治療に関する技術をライセンス譲渡 (導出) したものであります。この技術は、Vector (ベクター) として AAV (Adeno-Associated Virus, ; アデノ随伴ウイルス) を利用し、必要な遺伝子を AAV に組み入れて治療するという遺伝子治療の基盤技術です。

メディシノバについて

メディシノバ (MediciNova, Inc.) は、臨床開発ステージにあるバイオ医薬品開発企業であり、炎症性疾患、線維化疾患、神経変性疾患などの様々な疾患領域において、新規低分子化合物の広範な後期パイプラインを開発しています。主要な開発品である 2 つの化合物、MN-166 (イブジラスト) と MN-001 (タイペルカスト) は、複数の作用機序と高い安全性プロファイルを有しており、当社は、これら 2 つの化合物について現在 11 の臨床開発プログラムを有しております。

当社の主力開発品である MN-166 (イブジラスト) は、現在、筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 及び変性性頸椎椎骨症 (DCM) で臨床第 III 相 (フェーズ 3) 段階、進行性の多発性硬化症 (MS) において臨床第 III 相 (フェーズ 3) 準備段階にあります。加えて、MN-166 (イブジラスト) は、膠芽腫 (グリオブラストーマ)、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) 及び薬物依存症の治療薬として臨床第 II 相 (フェーズ 2) 段階にあります。

MN-001 (タイペルカスト) は、非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD) について、臨床第 II 相 (フェーズ 2) の準備段階にあります。

当社は、公的機関からの資金助成を受け、多くの医師主導型臨床試験を実施してきた強固な実績を有しています。

当社詳細につきましては <https://medicinova.jp/> をご覧ください。本社所在地はアメリカ合衆国カリフォルニア州 ラ・ホイヤ、スイート 300、エグゼクティブ・スクエア 4275 (電話 1-858-373-1500) です。

注意事項

このプレスリリースには、1995 年米国民事証券訴訟改革法 (The Private Securities Litigation Reform Act of 1995) に規定される意味での「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、MN-166、MN-001、MN-221 及び MN-029 の治療法の将来における開発や効果に関する記述などが含まれま

す。これらの「将来の見通しに関する記述」には、そこに記述され、示されたものとは大きく違う結果または事象に導く多数のリスクまたは不確定要素が含まれます。かかる要素としては、MN-166、MN-001、MN-221、またはMN-029を開発するための提携先または助成金を得る可能性、当社の事業または臨床開発を行うために十分な資金を調達する可能性、将来の臨床治験のタイミング、費用、計画など、臨床治験、製品開発および商品化に付随するリスクや不確定要素、FDAに対して書類を提出するタイミング、臨床開発及び商品化のリスク、現段階の臨床治験の結果が必ずしもその後の製品開発の行方を確定するものではない可能性、当局の承認取得の遅延または失敗の可能性、臨床治験の資金を第三者機関に頼ることによるリスク、商品候補に対する知的財産権に関するリスク及びかかる権利の防御・執行能力に関するリスク、製品候補の臨床治験または製造を依頼している第三者機関が当社の期待通りに履行できない可能性、さらに臨床治験の開始、患者登録、完了または解析、臨床治験計画の妥当性または実施に関連する重大な問題、規制当局への書類提出のタイミング、第三者機関との提携またはタイムリーな資金調達の可否などに起因する遅延及び費用増大に加え、当社が米国証券取引委員会に提出した2022年12月期のForm10K及びその後の10Q、8Kなど届出書に記載されているものも含め、しかしそれに限定されないその他のリスクや不確定要素があります。したがって、「将来の見通しに関する記述」はその時点における当社の状況を述べているにとどまり、実際の結果または成り行きは、必ずしも予想通りにはならない可能性があることにご留意下さい。また当社には、この記述に関して、情報の修正または更新を行う義務はありません。