



2023年12月期 決算短信〔米国基準〕(連結)

2024年2月16日

上場会社名 メディシノバ・インク 上場取引所 東
コード番号 4875 URL <https://medicinova.jp>
代表者 (役職名) 代表取締役社長兼CEO (氏名) 岩城 裕一
問合せ先責任者 (役職名) 取締役兼CMO (氏名) 松田 和子 (TEL)03(3519)5010
東京事務所代表副社長
定時株主総会開催予定日 2024年6月11日
有価証券報告書提出予定日 2024年6月10日 配当支払開始予定日 —
決算補足説明資料作成の有無 : 有・無
決算説明会開催の有無 : 有・無

1. 2023年12月期の連結業績(2023年1月1日~2023年12月31日)

(1) 連結経営成績(累計)

(単位:米ドル(千円)、%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		税引前当期純利益		当社株主に帰属する当期純利益	
		%		%		%		%
2023年12月期	1,000,000 (147,550)	—	△ 9,900,265 (△ 1,460,784)	—	△ 8,568,469 (△ 1,264,277)	—	△ 8,571,516 (△ 1,264,727)	—
2022年12月期	—	—	△ 14,628,649 (△ 2,158,457)	—	△ 14,066,261 (△ 2,075,476)	—	△ 14,069,083 (△ 2,075,893)	—

(注) 包括利益 2023年12月期 △ 8,574,321米ドル (△ 1,265,141千円) (—%) 2022年12月期 △ 14,085,491米ドル (△ 2,078,314千円) (—%)

(単位:米ドル(円))

	1株当たり当社株主に帰属する当期純利益	潜在株式調整後1株当たり当社株主に帰属する当期純利益	株主資本当社株主に帰属する当期純利益率	総資産税引前当期純利益率	売上高営業利益率
2023年12月期	△ 0.17 (△ 25)	—	△ 12.9%	△ 12.2%	—
2022年12月期	△ 0.29 (△ 42)	—	△ 18.3%	△ 17.4%	—

(注) ① 1株当たり当社株主に帰属する当期純利益はASC Topic260「1株当たり利益」に基づいて算出しております。

② 潜在株式調整後1株当たり当社株主に帰属する当期純利益については、1株当たり当社株主に帰属する当期純損失であるため記載しておりません。

(2) 連結財政状態

(単位:1株当たり金額を除き米ドル(千円))

	総資産	資本合計(純資産)	株主資本	株主資本比率	1株当たり株主資本
2023年12月期	66,269,977 (9,778,135)	62,378,424 (9,203,936)	62,378,424 (9,203,936)	94.1	米ドル (円) 1.27 (187.38)
2022年12月期	74,154,905 (10,941,556)	70,242,035 (10,364,212)	70,242,035 (10,364,212)	94.7	1.43 (210.99)

(3) 連結キャッシュ・フローの状況

(単位:米ドル(千円))

	営業活動による キャッシュ・フロー	投資活動による キャッシュ・フロー	財務活動による キャッシュ・フロー	現金及び現金同等物 期末残高
2023年12月期	△ 7,431,038 (△ 1,096,449)	39,907,716 (5,888,383)	— (—)	50,999,442 (7,524,967)
2022年12月期	△ 12,911,563 (△ 1,905,101)	△ 40,005,010 (△ 5,902,739)	7,920 (1,168)	18,505,493 (2,730,485)

(注) 当社の2023年12月期及び2022年12月期の連結財務諸表の原文は米ドルで表示されています。連結経営成績及び連結財政状態について、カッコ内に表示さ

れている金額は、便宜上、2024年1月31日現在の三菱UFJ銀行の対顧客電信直物相場の仲値に基づき、1米ドル=147.55円で換算された金額です。また記載金額は、表示単位未満を切り捨てて表示しております。

2. 配当の状況

(単位:米ドル(円))

	1株当たり配当金					配当金総額 (合計)	配当性向 (連結)	株主資本 配当率(連結)
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
2022年12月期	—	—	—	0.00	0.00	0.00	—	—
2023年12月期	—	—	—	0.00	0.00	0.00	—	—
2024年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00		—	

3. 2024年12月期の連結業績予想 (2024年1月1日～2024年12月31日)

2024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ます。

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2024年12月期において見込んでいる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ため、現時点においては今期の業績予想を記載しておりません。

※ 注記事項

(1) 期中における重要な子会社の異動

(連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動)

: 有・無

新規 (社名)

除外 社 (社名)

(2) 会計方針の変更

① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更

: 有・無

② ①以外の会計方針の変更

: 有・無

(3) 発行済株式数 (普通株式)

① 期末発行済株式数(自己株式を含む)

2023年12月期	49,046,246株	2022年12月期	49,046,246株
2023年12月期	—株	2022年12月期	—株
2023年12月期	49,046,246株	2022年12月期	49,045,342株

② 期末自己株式数

③ 期中平均株式数

※ 監査手続の実施状況に関する表示

・当社は金融商品取引法に基づく財務諸表の監査手続を受けていません。

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

・本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、【添付資料】2 ページ「経営成績に関する分析」をご覧ください。

・連結財務諸表の作成において米国基準を採用しているため、個別業績の概要を記載しておりません。

○ 添付資料の目次

1. 経営成績・財政状態に関する分析	2
(1) 経営成績に関する分析.....	2
(2) 財政状態に関する分析.....	3
(3) 事業等のリスク.....	5
2. 企業集団の状況.....	32
3. 経営方針.....	33
4. 連結財務書類.....	34
(1) 連結貸借対照表.....	34
(2) 連結損益及び包括利益計算書.....	35
(3) 連結株主資本等変動計算書.....	36
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書.....	37
(5) 継続企業の前提に関する注記.....	37
(6) 連結財務書類作成のための基本となる重要な事項.....	38
(7) 連結財務書類作成のための基本となる重要な事項の変更.....	39
(8) 連結財務書類に関する注記事項.....	40
5. 連結財務書類（日本円換算）	48
(1) 連結貸借対照表.....	48
(2) 連結損益及び包括利益計算書.....	49
(3) 連結株主資本等変動計算書.....	50
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書.....	51

※ 本文中の日時は、米国太平洋時間となっています。

1. 経営成績・財政状態に関する分析

医薬品業界を取り巻く環境は厳しさを増しており、新薬の開発競争も激しくなるばかりです。加えて、新薬の申請・承認プロセス及び基準・方針は国や地域により異なるため、新薬を創出するまでの道程は決して平坦ではありません。

このような環境下において、当社では、いかなる環境の変化にも対応できるよう柔軟な経営を心掛けながら、治療法が限られている難病を患う世界中の患者さんに有効な薬を届けることを目的として事業を行っております。中でも、進行型多発性硬化症、ALS、化学療法誘発性末梢神経障害、変性性頸椎椎症、グリオブラストーマ、薬物（メタンフェタミン依存、オピオイド依存等）やアルコール依存等の多様な神経系疾患に加え、急性呼吸窮迫症候群（ARDS）、Long-COVID及びその他の疾患を適応とするMN-166（イブジラスト）及びNASH、肺線維症など線維症疾患のほか、糖尿病による高脂血症やNAFLDなどを適応とするMN-001（タイペルカスト）に経営資源を集中して新薬を創出すべく邁進しております。

(1) 経営成績に関する分析

(a) 当期の経営成績

(i) 収益

2022年12月31日に終了した事業年度では収益が計上されなかったのに対して、2023年12月31日に終了した事業年度では1.0百万米ドル（147百万円）の収益が計上されました。この1.0百万米ドル（147百万円）の営業収益は、ジェンザイム・コーポレーション（「ジェンザイム」）との間で締結したライセンス契約に基づいて、1件の臨床開発マイルストーンを達成したマイルストーン収入を計上したことによるものです。

(ii) 研究開発及びパテント費

2023年12月31日に終了した事業年度の研究開発及びパテント費は、前事業年度の研究開発及びパテント費9.1百万米ドル（1,342百万円）と比べて3.4百万米ドル（501百万円）減少し、5.7百万米ドル（841百万円）となりました。この減少は主として、MN-166（イブジラスト）及びMN-221（ベドラドリン）に係る費用が減少したことによるものです。MN-166（イブジラスト）に係る費用の減少は主として、前事業年度に比べて患者の登録数及び治験スケジュールの完了に基づいた治験費用が減少したこと、ならびに米国生物医学先端研究開発機構（BARDA）から前臨床研究に係るコストの一部払戻として受領した資金0.7百万米ドル（103百万円）を、2023年におけるMN-166（イブジラスト）に係る研究開発費と相殺したことによるものです。また、MN-221（ベドラドリン）に係る費用の減少は主として、2022年にキッセイ薬品工業株式会社に支払ったライセンス契約解除に伴う手数料に関連するものです。

(iii) 一般管理費

2023年12月31日に終了した事業年度の一般管理費は、前事業年度の一般管理費5.5百万米ドル（811百万円）と比べて0.3百万米ドル（44百万円）減少し、5.2百万米ドル（767百万円）となりました。この減少は主として、報酬費用及び会計関連費用が減少したことによるものです。

(iv) その他の費用（純額）

前事業年度のその他の費用が約0.2百万米ドル（29百万円）であったのに対し、2023年12月31日に終了した事業年度のその他の費用は約0.5百万米ドル（73百万円）でした。0.3百万米ドル（44百万円）の増加は主として、定期預金の期日前解約に係る違約金によるものです。

(v) 受取利息

2023年12月31日に終了した事業年度の受取利息は、前事業年度の受取利息0.8百万米ドル（118百万円）と比べて1.0百万米ドル（147百万円）増加し、1.8百万米ドル（265百万円）となりました。この増加は主として、現金及び定期預金に係る金利が上昇したことによるものです。受取利息は、当社の現金及び現金同等物ならびに投資に係る利息で構成されています。

(b) 次期（2024年12月期）の業績見通し

次期（2024年12月期）も引き続き、進行型多発性硬化症、ALS、薬物依存（メタンフェタミン依存、オピオイド依存等）やアルコール依存、グリオブラストーマをはじめとする多様な神経系疾患、急性呼吸窮迫症候群（ARDS）、Long-COVID及びその他の疾患を適応とするMN-166（イブジラスト）及びNASH、肺線維症など線維症疾患、および糖尿病による高脂血症やNAFLDなどを適応とするMN-001（タイペルカスト）に経営資源を集中し、臨床治験を進めてまいります。現在進行中の臨床治験の進捗に伴いかかる費用が当期よりも増加することにより研究開発費が増加する見込みです。

次期（2024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りうる可能性が想定されます。

また、本資料の発表日現在においては、次期（2024年12月期）の事業費用について、営業費用として19.2百万米ドル（約2,833百万円）（前期比+76.1%）の支出を見込んでおりますが、提携契約の締結に至った場合、契約の内容によっては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ため、現時点においては今期の業績予想を記載しておりません。

上記の見通しは本資料の発表日現在において当社の立てたある前提に基づくものであり、これら前提は経営陣の経験や過去の傾向、現況、期待される将来の進展、及びその時の状況下において適切と判断する他の要因に対する経営陣の認識に基づくものであります。このような見通しは多くの前提、リスク、不確定要素の影響を受けますが、これらの多くは当社のコントロールが及ばないものであり、実際の当社の業績は上記の見通しと大きく異なることがあります。これらリスクにつきましては、米国証券取引委員会（SEC）提出のメディシノバ・インクにかかる文書に詳述されているリスクファクターが含まれています。リスクファクターの詳細に関しましては、本短信P5～P31をご参照下さい。）

(2) 財政状態に関する分析

(a) 資産、負債、純資産及びキャッシュ・フローの状況に関する分析

当社は2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度において、それぞれ8.6百万米ドル（1,268百万円）及び14.1百万米ドル（2,080百万円）の当期純損失を計上しました。当社の累積欠損の額は、2023年及び2022年12月31日現在において、それぞれ415.7百万米ドル（61,336百万円）及び407.1百万米ドル（60,067百万円）であります。これまで当社の営業損失に対する資金補填は、主として当社株式関連証券の私募、当社普通株式の公募、長期借入、提携先との開発契約及びワラント行使による資金調達（うち一部は自社株買戻しに使用）により行われてきました。

下表は、2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度におけるキャッシュ・フローの要約です。

（単位：千米ドル（百万円））

	2023年12月期	2022年12月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 7,431 (△ 1,096)	△ 12,912 (△ 1,905)
投資活動によるキャッシュ・フロー	39,908 (5,888)	△ 40,005 (△ 5,902)
財務活動によるキャッシュ・フロー	- (-)	8 (1)
合計	32,477 (4,791)	△ 52,909 (△ 7,806)

財政状態及び流動性に影響を与える可能性のある要素

2023年12月31日現在、当社の現金及び現金同等物は51.0百万米ドル（7,525百万円）で、運転資本は47.9百万米ドル（7,067百万円）でした。本短信提出日現在、当社は、少なくとも2025年12月31日までの事業運営にあたって十分な運転資本を確保しているものと考えています。これは2024年度の事業運営にあたって必要なキャッシュを約19.2百万米ドル（2,832百万円）と見積もっており、2025年度も予想インフレ率の上昇を含め同程度の支出を続けるとの仮定に基づいています。当社は事業運営にあたりこの程度の支出が、開発中の製品を収益化するための研究開発費をまかなうのに十分な水準であると見込んでいます。

当社の将来的な資金需要は多くの要素に左右されます。たとえば、以下のような要素が挙げられますが、これらに限定されるわけではありません。

- ・ 将来の臨床治験及びその他の研究開発の進捗及び費用
- ・ 当社の製品開発プログラムの範囲、優先順位及び件数
- ・ 臨床治験、薬事承認又は商取引上の事象に関する様々なマイルストーンの達成時に、将来的なマイルストーンの支払債務が生じる取り決めになっているライセンス契約における当社の義務
- ・ ライセンス付与その他の取り決め等を含む戦略的な協働関係を構築・維持する能力及びさらなる製品候補を取得する当社の能力
- ・ 薬事承認の取得に係る期間及び費用
- ・ 当社の製品候補の臨床治験用生産又は商業生産に要する製造手配を確実に行うための費用
- ・ 当社の経営陣、人員、システム及び設備を拡充するために必要な費用
- ・ 訴訟に関する費用
- ・ 当社が取得する可能性のある事業の運営又は縮小に関する費用
- ・ 特許権その他の知的財産権の出願、侵害の告発、行使及び防御に関する費用
- ・ 当社の製品候補の販売について薬事承認を取得した場合に必要な、販売及びマーケティング機能並びに商品化活動の構築に要する費用又はこれらを外部に請負わせるために要する費用

エクイティ・ファイナンス

当社は、2022年8月26日付けで、フォームS-3によりShelf Registration Statement（「発行登録書」）をSECに提出しました（この登録書は2022年9月6日にSECにより有効とされました）。これにより当社は、200.0百万米ドル（29,510百万円）を上限として、当社普通株式、優先株式、債務証券、及びワラントについて1回又は複数回の任意の組み合わせによる募集が可能となりました。発行登録書により、当社は一般的な事業目的のために、将来においても柔軟な資本調達が可能となります。またこの発行登録書の一部として、当社は、B. Riley Securities, Inc. (旧 B. Riley FBR, Inc.)（「B. Riley Securities」）との間でATM新株販売代理契約の修正契約（「修正後ATM契約」）を締結しました。修正後ATM契約に基づき当社はB. Riley Securitiesを通じて発行価格総額75.0百万米ドル（11,066百万円）を上限とする当社普通株式を随時売却することができますが、そのうち10.3百万米ドル（1,519百万円）の株式は、2022年8月に失効したフォームS-3のPrior Shelf Registration Statement（「旧発行登録書」）のもとで販売されました。修正後ATM契約に基づいて、また新たな発行登録書の一部として、当社は、64.7百万米ドル（9,546百万円）を上限として当社普通株式を登録する補足目論見書を提出しました。これは、修正前のATM契約及び旧発行登録書に基づき当社が販売登録を行った株式の残余株式になります。

B. Riley Securitiesを通じて普通株式を売却する場合には、1933年証券法（その後の改正を含む）に基づき公布されたRule 415における定義上で「市場を通じた」株式発行と見なされるあらゆる方法にて売却が実施されます。これらの方法には、NASDAQその他の既設の普通株式の売買市場で直接売却する方法、並びに、マーケットメーカーを通じた売却方法が含まれます。また、当社の事前承認を前提に、B. Riley Securitiesは普通株式を相対取引で売却することもできます。当社は、B. Riley Securitiesに対して手数料として、ATM契約に基づき売却された普通株式による手取金総額の3.5%を上限として支払うことに合意しました。当社の手取金は、B. Riley Securitiesに売却される当社普通株式の数及び各取引における1株当たりの購入価格に左右されます。

2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度において、ATM契約に基づき売却した普通株式はありませんでした。

契約債務及び偶発債務

当社は、定期的な支払により将来の期間にわたって当社の流動性やキャッシュ・フローに影響を与える契約債務を負う取引を行いました。これらの取引には以下に示す契約債務に関連するものが含まれています。

リース取引

当社のオペレーティング・リース取引は、米国カリフォルニア州サンディエゴにおけるリース契約及び日本の東京におけるリース契約による支払が含まれています。2023年12月31日現在、当社のリースによる契約債務は、0.6百万米ドル（88百万円）であり、今後リース期間にわたって支払われます。

マイルストーン契約

当社は様々な製薬会社とインライセンス契約を締結しました。これらの契約の条項により、当社は一定のпатентあるいは申請中のпатентの研究結果、ノウハウ、技術を利用できるライセンスを得ることができます。これらのライセンス契約においては、通常、アップフロントの支払及びマイルストーンの達成に応じた追加的な支払、及び/あるいは将来的な製品の販売時におけるロイヤリティの追加的な支払が求められます。これら追加的な支払は、国ごとに異なりますが、通常、適用されるпатентが失効する日か、あるいは市場での商業的な販売取引が行われる最後の日の、どちらか遅い日まで行われます。当社は、マイルストーンが達成された場合、将来的に必要な支払は合計で26.5百万米ドル（3,910百万円）になると予想しています。

(b) キャッシュ・フロー関連指標の推移

	2019年 12月期	2020年 12月期	2021年 12月期	2022年 12月期	2023年 12月期
株主資本比率	94.6%	94.6%	95.7%	94.7%	94.1%
時価ベースの自己資本比率	371.1%	306.8%	153.1%	156.1%	105.3%
キャッシュ・フロー対有利子負債比率	—	—	—	—	—
インタレスト・カバレッジ・レシオ	—	—	—	—	—

(参考) 株主資本比率 (%) 株主資本/総資産
 時価ベースの株主資本比率 (%) 株式時価総額/総資産
 キャッシュ・フロー対有利子負債比率 有利子負債/営業キャッシュ・フロー
 インタレスト・カバレッジ・レシオ 営業キャッシュ・フロー/利払い

(注1) いずれも連結ベースの財務数値により計算しています。

(注2) 時価総額の算定方法は、当期末の東京証券取引所のスタンダード市場での株価終値×(当期末の発行済み株式数-当期末の自己株式数)となっております。なお、Nasdaqグローバル市場での当期末株価終値による時価ベースの自己資本比率は111.0%となります。

(注3) 営業キャッシュ・フローがマイナスの場合、キャッシュ・フロー対有利子負債比率及びインタレスト・カバレッジ・レシオについては開示していません。

(3) 事業等のリスク

当社の所属する業界は、ダイナミックで変化の早い環境にあり、多くのリスク及び不確実性を抱えております。当社の事業、財務状況及び業績に重大な悪影響を与える事項があり、それらを慎重に考慮する必要があります。従って、当社の事業を評価するにあたり、本書及びその他の米国証券取引委員会(「SEC」)・東京証券取引所等への提出資料に記載する他の項目を参照してください。なお、その他の、当社が現在予測していない事象や重要ではないと考えている事象もまた、当社の業績及び財務状況に影響を与える可能性があります。なお、リスクファクターの内容には、2022年度有価証券報告書から大きな変更はありません。

リスクファクターの概要

当社の事業、キャッシュ・フロー、財務状況及び業績に悪影響を与える可能性がある主なリスク及び不確実性は以下のとおりであり、これらは重大な悪影響を与えるおそれがあります。本概要は、以下のリスク及び不確実性により詳細な記載を参照することによって適切なものとなるため、これらのより詳細な記載とともにお読みください。

主要なリスク及び不確実性は、とりわけ、下記の事項に関するものです。

当社の事業及び業界に関連するリスク

1. 当社は、設立以来多額の営業損失を計上していますが、さらに、近い将来にわたり、かかる損失が継続することを見込んでおります。

当社は、2000年9月の設立以来多額の純損失を負ってきました。2023年及び2022年12月31日に終了した年度における当社の純損失は、それぞれ約8.6百万米ドル及び14.1百万米ドルでした。2023年及び2022年各12月31日時点で、当社の累積赤字はそれぞれ415.7百万米ドル及び407.1百万米ドルでした。当社は、特定の既存の製品候補の開発を継続することにより今後数年間、また、研究開発プログラムの拡張、並びに当社の製品、技術及び事業を補完するような製品、技術及び事業の取得又はライセンスの導入が実施された場合には長期間にわたり、相当な純損失を計上することを見込んでおります。また、当社の純損失は四半期ごとに大きく変動する可能性があり、そのため、当社の業績の期間ごとの比較は当社の将来の業績の有効な指標とならない場合があります。2023年12月31日現在、当社の利用可能な現金及び現金同等物は51.0百万米ドル、運転資本は47.9百万米ドルでした。当社が将来合意可能な条件に基づく十分な資金調達を利用できるか、又はそもそも資金調達を利用できるかについて、保証することはできません。当社が追加資金

を調達できない場合、当社は、ライセンスアウトを行い、一つ以上のプログラムを売却し、又は営業を停止しなければならなくなる可能性があります。

将来的な当社の資金需要は、下記の事項に左右されます。

- ・ 将来の臨床治験及びその他の研究開発の経過及び費用
- ・ 当社の製品開発プログラムの範囲、優先順位及び数量
- ・ 臨床治験、薬事承認又は商取引上の事由に関し目標を達成した場合マイルストーンを支払わなければならないという、ライセンス契約上当社が負うべき義務
- ・ ライセンス契約及びその他協定を含む戦略的提携を確立・維持する当社の能力
- ・ 薬事承認の取得のタイミング及び費用
- ・ 当社の製品候補の臨床治験用生産又は商業生産に要する製造準備を確保するための費用
- ・ 当社の経営陣、人員、システム及び設備を拡充するために必要な費用
- ・ 訴訟に関する費用
- ・ 当社が取得する可能性のある事業の運営又は縮小に関する費用
- ・ インフレと金利の急速な上昇
- ・ 特許権及びその他知的財産権の出願、侵害の告発、実施及び防御に関する費用
- ・ 当社製品候補の販売のための薬事承認を取得した場合に、営業及びマーケティング能力並びに商品化活動の構築又は契約に係る費用

当社は、2024年の研究開発費について、MN-166（イブジラスト）及びMN-001（タイペルカスト）、及びその他の将来的な製品候補の開発を継続することを理由として、2023年の研究開発費に比べて増加すると予測しています。当面は、多額の営業損失を継続して負担することが予測されております。医薬品の開発に伴う多くのリスク及び不確実性のため、当社は、将来的な損失額の程度や利益を上げることのできる時期について予測することができません。

もし将来当社が課税所得を得た場合に、所有者変更が起これば、純営業損失の利用又は税額控除の繰戻は、1986年内国歳入法382項及び383項に従い実質的に年間限度額の定めに従うことになり、また同様な州の規定に従わなければなりません。こうした所有者変更は、課税所得及び税金との相殺にそれぞれ利用することのできる純営業損失及び税額控除の繰越額を制限することとなります。当社は所有者変更に関する分析作業を実施し2022年12月31日までにおいては所有者変更が生じていないと判断しました。必要な所有者変更が生じた場合、次年度以降の課税所得との相殺及び法人税費用の控除に利用することのできる残りの租税属性の繰越額が制限され又は消滅する可能性があります。同様な州税法の規定が適用され、当社による累積的な州租税属性の利用が制限される可能性もあります。また、州レベルでは、純営業損失の利用が制限される可能性もあります。また、州レベルでは、純営業損失の利用が停止又は制限される期間が生じ、それにより州税の納付が繰り上げられたり、恒久的に増額されたりする可能性があります。その結果、当社は、収益を上げたとしても純営業損失及びその他の租税属性の相当の部分を利用することができず、それにより当社の将来のキャッシュ・フローに悪影響が及ぶ可能性があります。

2. 当社の製品候補が承認された場合、それらの開発及び商品化を完了するために追加の資金調達が必要となります。そうした当社事業の運営に必要な資金調達ができない場合、当社は臨床活動、薬事活動又はその他の事業の一部又は全部の著しい遅延、縮小又は中止を余儀なくされる可能性があります。

当社は、2000年9月の設立以来多額の資本を消費しております。

本書の日付現在当社が有する運転資金が、少なくとも2025年末までの事業運営の資金需要を充足すると考えています。当社の事業は引き続き相当額の研究開発費を必要とします。当社は、入手可能な資金源から資金調達を行わなければ、当社の事業を継続して現在保有する製品候補の開発を終えるため、又は順調に開発した製品を上市するために適切な資金がなくなると考えています。負債やエクイティ・ファイナンス、提携先との取り決め、その他の資金源から、当社に有利な条件で、必要な時に適切な資金が得られるか、又はそもそも資金が得られるかについて、保証はありません。事業に必要なタイミングで十分な追加資金が得られない場合、当社は一つ若しくは複数の当社の臨床活動若しくは薬事活動の中止、遅延若しくは縮小、又は一般管理費のさらなる削減を余儀なくされる可能性があります。

3. 当社はまだ販売が承認された製品を有していないため、現在、製品の販売による収益は得ておらず、今後製品の販

売による収益を一切得られない可能性や、収益を得られたとしても当面の間は採算を取ることができない可能性があります。

当社は今日まで、主として有価証券の売却、及びこれより少ない程度で負債による資金調達により事業資金を得ております。当社は商業販売が承認された製品を保有しておらず、当社の製品候補のいずれかが1つ以上の法域において商品化に必要な規制当局の承認を得るまで、製品販売による収益を得ることは想定しておりません。当社は、今後少なくとも数年間は、製品候補の商品化による収益を得ることはないものと思われまます。当社は、製品候補が商品化される前の段階においては、当社が協力関係や戦略的提携関係を結ぶか、又は一定の契約関係を締結することができ、かかる契約により規定されている場合には、ライセンス導出契約による前払金及びマイルストーンが当社の主な収入源となると見込んでおります。当社の製品候補の販売から収益を得るには、当社が、単独又は第三者と共同で、大消費市場向けの医薬品を開発し、薬事承認を受け、製造及び販売において成功を収めなければなりません。当社は、これらの活動において成功しない可能性があり、さらに、当社の営業活動を継続させ、又は採算を取るだけの十分な収益を上げることができない可能性もあります。

4. 当社は、製品候補MN-166 (イブジラスト) 及びMN-001 (タイペルカスト) の成功に著しく依存しておりますが、これらの製品候補が首尾よく薬事承認を受け、商品化することを保証することはできません。

当社は現在、まだ販売承認を得た製品を有しておらず、これまでに製品の販売承認を得たこともありません。当社が今後、製品の販売承認を得られるという保証もありません。医薬品に関わる研究、試験、製造、表示、承認、販売、マーケティング、流通などのすべては、FDA及び米国外の当局の広範な規制に従わなければなりません。当社はFDAへ新薬承認申請 (NDA) を、又は米国外の規制当局へNDAと同等の申請を提出して、その承認を受けるまでは、米国内で製品候補を商品化し、販売することができません。しかし、FDAの承認までは、長く、コストがかかり、しかも不確実な道のりです。当社はこれまで、当社の事業努力と財源の大部分を製品候補MN-166 (イブジラスト) 及びMN-001 (タイペルカスト) の開発及び販売に投入してきました。当社の今後の成功は、主に、製品候補MN-166 (イブジラスト) 及びMN-001 (タイペルカスト) を首尾よく開発し、薬事承認を受け、商品化できるかに依存しており、MN-166 (イブジラスト) 又はMN-001 (タイペルカスト) が薬事承認をいつ取得するか、又はそもそも取得できるかについて、正確に予測することはできません。現在、これらの製品候補は、まだ臨床開発段階にあるため、当社はいずれの製品候補についても、NDA又はNDAと同等の外国における申請は未提出で、販売の許可を受けておりません。

当社の製品候補の安全性や効能について、FDAや米国外の規制当局を満足させる結果を出せず必要な承認を得ることができないような場合をはじめとする多くの理由により、MN-166 (イブジラスト) にかかる臨床開発プログラムが医薬品としての上市に結びつかないことがあり得ます。臨床試験を経て製品候補開発を進めるには不十分な財務資源及びその他の資源しか持つことができない場合、又は第三者との戦略的提携関係を確保することができない場合には、必要な承認が得られないことも考えられます。当社の製品候補について臨床試験の完了又は規制当局からの承認取得が適時に行われなかった場合や遅延した場合は、当社の事業及び株価に重大な悪影響を及ぼします。

5. 臨床初期段階の臨床試験の結果が必ずしも後期の臨床結果を予測できるものではないため、いずれかの適応において当社が臨床試験を行う製品候補は、臨床後期において良好な結果を出し、薬事承認に至ることがないかもしれません。

当社の製品候補は医薬品開発に内在する失敗のリスクにさらされています。当社は、製品候補の商品化の薬事承認を受けるに先立ち、当社開発の製品候補が関連するターゲットの適応疾患を患う多様な人種の患者にとって安全で有効性を持つことを、うまくコントロールされた臨床試験により示さなければなりません。初期臨床段階の臨床試験における成功が、たとえ、統計的な有意差が認められていても、後期段階の臨床試験では安全性や有効性を示すことができずに成功を意味しないこともありえます。例えば、当社は、アルコール使用障害を適応とするMN-166 (イブジラスト) のフェーズ2臨床試験の良好な結果を、将来、他の適応における臨床試験では再現できない可能性があります。臨床試験の失敗は、試験デザインの欠陥、投与量の選択、プラセボ効果、患者登録の基準、初期の試験における被験者数が比較的少なかったこと、及び安全性又は有効性に関する有利な特性を示すことができないことなど、多くの要因から生じる可能性があります。そのため、臨床試験の失敗は、試験のどの段階においても起こりえます。

多くの製薬会社が、初期の臨床試験で有望な結果を得ていたとしても、その後の臨床試験を進める中で大きな挫折

を経験しており、当社が同様の挫折に直面しないという確証はありません。当社の製品候補の計画中の臨床治験において、治験デザイン、十分な数の被験者の登録ができない、副作用その他の安全性の問題、薬効の不足などを含む様々な要因により、成功に至らない可能性があります。もしも、製品候補が十分な安全性又は有効性を示すことができない場合、その製品候補の開発に重大な遅れが出たり、開発の中止を余儀なくされたりすることがあります。臨床治験に重大な遅れが生じた場合、それにより当社の競合企業が当社よりも前に製品を上市する、又は当社が製品候補の商品化について独占的権利を有する期間が短縮されるなどして当社の製品候補を商品化する能力が損なわれ、当社の事業及び業績に損害が及ぶ可能性があります。

6. 当社が発表または公開する臨床治験の中間データ及び予備的なトップラインデータは、より多くの患者データが入手可能になるにつれて変更される可能性があり、監査および検証手順の対象となり、最終データに重大な変更が生じる可能性があります。

当社は、その時点で入手可能なデータの予備分析に基づいて、当社が実施する臨床治験の中間データ、トップラインデータ、または予備データを保有しており、また随時公表する場合があります。これらの臨床治験の最終結果および関連する所見および結論は、特定の治験に関連するデータのより包括的なレビュー後に変更される可能性があります。また、当社はデータ分析の一環として仮定、推定、計算、結論を出しますが、すべてのデータを受け取っていない、またはすべてのデータを完全かつ慎重に評価する機会がなかった可能性があります。さらに、当社が完了する可能性のある臨床治験の中間データは、患者登録が継続し、より多くの患者データが入手可能になるにつれて、臨床結果の1つまたは複数が大きく変化するリスクにさらされています。その結果、追加のデータを受理し、十分に評価された後、当社が報告するトップラインまたは予備的な結果が、同じ治験の将来の結果と異なる場合や、異なる結論や考察がそのような結果を認定する可能性があります。トップラインまたは予備データも依然として監査および検証手順の対象となり、その結果、最終データが以前に公開したトップラインデータまたは予備データと大きく異なる結果となる可能性があります。そのため、最終データが入手可能になり公開されるまで、トップラインデータおよび予備データは注意して閲覧する必要があります。中間データと最終データの間に不利な相違が生じた場合、当社のビジネス見通しに重大な悪影響を与える可能性があります。さらに、当社または競合他社による中間データの開示により、当社普通株式の価格が変動する可能性があります。

さらに、規制当局を含む他の機関は、当社の仮定、推定、計算、結論または分析を受け入れまたは同意しない可能性があり、あるいはデータの重要性を異なる解釈または比較検討する可能性があります。このような場合特定のプログラムの価値、承認可能性または商業化、及び製品、当社全般に影響を与える可能性があります。さらに、当社が特定の臨床治験に関して公開することを選択した情報は、通常広範な情報に基づいており、当社が開示に含めるべき重要な情報またはその他の適切な情報であると判断した内容に、投資家または他の人が同意しない可能性があります。当社が報告する中間データ、トップラインデータ、または予備データが実際の結果と異なる場合、または規制当局を含む他の機関が到達した結論に同意しない場合、当社が開発する製品候補の承認を取得し商品化する能力が損なわれる可能性があります、当社の事業、財務状況、経営成績および見通しに悪影響を与える可能性があります。

7. NASH、NAFLD及びIPFについてMN-001（タイペルカスト）を開発する当社の試みは、その他の製品候補に関する当社の開発努力を損ない、当社の製品開発努力全体の効果を制限する可能性があります。

当社は、NASH、NAFLD及びIPFについてMN-001（タイペルカスト）の開発を進めることを決定しました。これらの活動により、当社のその他の製品開発活動から財源及び経営資源が分散され、かかるその他のプログラムを完了又は継続する当社の能力が制限される可能性があります。

8. 成功裡に治療薬剤を商品化するためには、製品候補の臨床治験を完了し、薬事承認を取得しなければならず、この過程は長大かつ複雑で多大な時間及び費用を要する場合があります、またその失敗の可能性は高く、遅延又は中止される可能性があります。

当社の製品候補は開発、臨床治験、製造及び商品化に関して当局の広範な規制に従わなければなりません。FDA及びその他の規制当局から薬事承認を取得する過程は、長大で多大な時間及び費用を要するとともに不確実であり、さらに予期せぬ遅延を余儀なくされることもあります。製品候補の市販に向けて薬事承認を受けるため、当社は自社費用で、製品候補の安全性と効能を示す目的で、患者である被験者に対して適切かつ十分に管理された臨床治験を行わな

ければなりません。臨床治験は複雑で、多大な資本と年月を有し、結果が不確実なものです。当社は今日までに、当社の製品開発プログラムについて臨床治験を行うために必要な薬事承認を取得しております。当社の製品候補についてFDAから新薬臨床治験開始申請（IND）が承認され、現在も有効です。

当社の製品候補の商品化に必要となる臨床開発を完了するために数年かかる可能性があり、また臨床開発のどの段階においても遅延又は失敗は起こりうることで、そうなれば、FDA又は米国外の規制当局により最終的に承認された当社の製品候補由来の製品を市販・販売することができなくなります。臨床治験の結果がネガティブなものであったり、決定的な結果が出ず、追加の臨床治験及び／又は非臨床治験を実施することを当社が決定したり、又は規制当局に課されたりする場合があります。臨床治験の中間結果は、必ずしも最終結果を予測するものではなく、前臨床試験及び早期の臨床治験における成功は、その後の臨床治験の成功を保証するものではありません。医薬品業界の多くの企業は、早期の治験段階で有望な結果が得られた場合でも、その後の段階の臨床治験において進捗の大幅な停滞を経験しています。加えて、臨床治験完了の遅延や臨床治験から得られたデータの規制当局による拒否は、開発コストの増大につながり、該当する製品候補の開発に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。

それぞれの製品候補の臨床治験の実施に関連して、当社は以下のリスクをはじめとする多くのリスクに直面しております。

- ・ 製品候補に適応症に対する効能がないことが判明する可能性
- ・ 臨床治験の被験者が、深刻な副作用又はその他の好ましくない副作用を呈する可能性
- ・ 早期段階の臨床治験で得られた良好な結果と一致しない結果が出る可能性
- ・ FDA又はその他の規制当局が、当社が提案する開発計画に同意しない可能性又は完了した臨床研究の結果を受理しない可能性
- ・ 当社が計画する臨床治験及びそこから得たデータを、FDAなどの薬事当局が不十分であるとみなす可能性（この場合、これにより当社の製品候補について、後期段階における臨床研究で成功を収めるまで、又はこれらの研究により導かれた結果が承認基準を満たしているとFDA又はその他の規制当局がみなすまでには、追加的な開発を要することになります。）

もし、当社が保有する製品候補について、成功裡に臨床開発を終えることができなければ、規制当局から承認を得ることができないため商品化が不可能となり、かかる製品候補から収益を得ることができなくなります。また、製品候補の臨床治験を行う過程において必要となる十分な財務資源又はその他の資源を得られなければ、必須の薬事承認を受けられない可能性もあります。さらに、当社が薬事承認を受けるために必要な前臨床又は臨床データを提供することができたと考えていても、FDA又は米国外の規制当局は、その管轄内における当該製品候補の商品化を最終的に承認しないおそれがあります。このような場合、当社の営業収益獲得能力は著しく制限され、当社の事業に悪影響を及ぼします。また、当社の製品候補が薬事承認を得ることに成功しても、その後も、追加治験の実施、製品表示の変更、製造過程に関する規制要件の追加や変更、医師への書面による勧告又は製品のリコールや回収など、FDAの規制を受け続けることとなります。

9. 当社は、当社の製品候補に関して厳重な規制を受けます。これによって当社製品候補の開発及び販売に遅れが生じるおそれがあります。

当社、当社の外部製造業者、業務提供者、供給業者及び提携先（もしあれば）、並びに当社の製品候補は、FDA及びその他米国における規制当局並びに諸外国における同種の規制当局による厳重な規制を受けております。当社の製品候補は、FDAの承認を経るまで、米国市場で販売できません。現在まで、当社の製品候補は、いずれもまだFDAから承認を受けておらず、また、かかる承認をいかなる製品候補についても一切受けられない可能性もあります。FDAの承認を得るためには、通常臨床開発に数年かかり、多くの資源を必要とします。さらに、規制要件や指針の変更はありうることで、また、製品候補や適応症に関する新しい情報が出ることもあります。そうした場合、予期せぬ追加の非臨床治験又は臨床治験を行ったり、これらの変更を織り込んで臨床治験プロトコルの修正を行わなければならない場合があります。予期せぬ追加の治験には費用がかかるだけでなく、製品候補に対する薬事承認の遅延や拒絶につながるおそれがあります。これらの規制要件は、製品候補の市場規模を制限し、又は追加費用を発生させることがあります。必要な承認の取得が遅れ又は取得できない場合、当社の該当製品候補からの収益力が大幅に弱められ又は全く失われる可能性があります。

さらに、薬事承認の前後において、当社、当社の提携先及び当社の製品候補は数々のFDAの規制上の要求、とりわけ、試験、製造、品質管理、製品表示、広告、販促、流通及び輸出といった事項に関する要求に服します。FDAの規制要件は変更される可能性があり、また政府による追加的な規制が施行される可能性があり、これらは当社、当社の提携先及び当社の製品候補に影響を及ぼす可能性があります。近年注目を集めた特定の医薬品の安全性に関わる有害事象が引き金となり、FDAは承認の条件として、安全性の監視、流通や適応法の制限、患者の教育、表示の改善、特別な梱包又は表示方法、特定の副作用についての迅速な報告、販促資料の事前承認、直接的な対消費者宣伝の制限など、費用のかかるリスク管理プログラムを要求する可能性があります。その上当社は、米国内外における将来的な立法又は行政行為により生じ得る政府の規制の可能性、性質及び程度については予測することができません。

米国以外の市場に当社のいずれかの製品を売り込むためには、当社及び当社の戦略的提携先及びライセンシーは、安全性及び効能に関する当該国の多くの様々な規制要件を満たしていることを立証し、これらを遵守しなければなりません。承認手続は国によって異なり、FDAの課す要件以上のさらなる製品試験及び追加的な事務審査期間を要することがあります。米国以外の国で承認を取得するために要する時間は、FDAからの承認を取得する際に要する時間とは異なることがあります。米国以外の国における薬事承認のプロセスは、FDAからの承認に関する上記記載のリスクのすべてを伴うことがあります。米国を含むある国において薬事承認を得たからといって、他国においても薬事承認を得ることができるとは限りませんが、ある国における薬事承認取得の失敗又は遅延は、他国における薬事承認プロセスに悪影響を与える可能性があります。また、当社が申請する当該製品候補の適応症がすべて承認されるとは限らないため、当社製品の使用が制限され、当社の潜在的なライセンス使用料収入及び製品売上に悪影響を及ぼします。また、当社の受けたいずれかの承認により、販売される製品の適応用法に制限が加えられ、又は多額の費用のかさむ市販後研究を命じられることがあります。

米国内外において適用される規制要件を遵守することができなければ、当社は、罰金その他の民事罰、製品の承認の遅延又は不認可、薬事承認の差止め又は取り消し、製品リコール、製品の差押え、業務制限、製造又は臨床治験の中止、差止め及び刑事告発等の様々な規制等の対象となる可能性があり、そのいずれもが当社の業務に損害を与えるものです。

10. 当社の製品候補が薬事承認を取得できても、引き続き開発や規制に関わる問題に直面する可能性があります。

米国における薬事承認を取得しても、FDAが、製品の適応又はマーケティングに関して重大な制限を課す場合や、追加の研究開発及び臨床治験等、コストのかかるおそれのある承認後研究を継続的に要求することがあります。これらの措置によって、製品から得べかりし収益が損なわれる可能性があります。例えば、その他の既存の製品候補又は将来ライセンス導入し若しくは取得する可能性のある製品候補（もしあれば）について、薬事承認を得られたとしても、最終的に、その製品表示に用法に関する制限を加えられ又は当社が定めた適応症を含められないこととなる場合もあり得ます。

当社の製品候補はまた、薬事承認を取得できた場合、製品表示、梱包、保管、宣伝、販促、記録の保管及び安全性その他の医薬品に関する市販後情報の提出について、継続してFDAの規制に従わなければなりません。それに加えて、承認を受けた製品、製造業者及び製造施設は、常に、定期的な審査・査察を受けることとなります。規制当局が、深刻な又は頻繁に起こる予期せぬ副作用の存在や製品の製造施設に関する問題等、製品に関して既知でない問題を発見した場合は、該当製品又は当社に対して、市場からの製品の回収を含む措置を課すことも考えられます。当社の製品候補がcGMPsなどの当局の適用規制に従わない場合、当局は以下の措置を取る可能性があります。

- ・ 行政警告書 (warning letters) 又はアンタイトルド・レター (untitled letters) の発行
- ・ 各種罰金の賦課、査察費用の償還、特定の措置の期限、違反に対する罰金などを定めた同意判決 (consent decree) の受け入れの要求
- ・ その他の民事・刑事罰の賦課
- ・ 薬事承認の延期
- ・ あらゆる進行中の臨床治験の一時停止
- ・ 当社の提出した審議中の出願又は承認済みの出願に対する補足事項の承認拒否
- ・ 費用のかかる新しい製造要件など、業務制限の賦課

- ・ 製品の差し押さえ又は製品リコールの要求

11. 当社は、一部の製品候補についてファストトラックの指定及びオーファンドラッグの指定を受けており、将来的には他の製品候補についてもそのような指定審査をもとめる可能性があります。このような指定を受けられない可能性があり、たとえ受けたとしてもそのような指定を維持しない可能性があり、そのような指定は開発、規制上の審査または承認の迅速化につながらない可能性があり、製品候補が販売承認を受ける可能性を高めるものではありません。

当社は、IPF、線維症を伴うNASH適応のMN-001（タイペルカスト）の開発に対し、また進行性多発性硬化症の適応、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の適応、メタンフェタミン依存症の適応のMN-166（イブジラスト）の開発に対し、ファストトラックの指定を受けています。FDAのファストトラックおよび優先審査プログラムにより恩恵を受ける可能性があります。

ファストトラック指定を受けた製品候補は、FDAとの早期かつ頻繁なコミュニケーション、優先審査の可能性、および規制審査のための順次申請を提出する能力から恩恵を受ける可能性があります。ファストトラック指定は、製品候補と研究されている特定の適応症の両方に適用されます。当社の製品候補のいずれかがファストトラック指定を受けたものの、引き続きファストトラック指定の基準を満たしていない場合、または予期せぬ有害事象や臨床供給の問題により当社の臨床治験が遅延、中断、終了、または臨床保留となった場合、ファストトラックプログラムに関連する特典は受けられません。さらに、ファストトラックの指定によって承認基準が変更されることはありません。製品候補に対するファストトラック指定は、従来のFDA手順に基づいて承認が検討されている製品と比較して、開発または規制当局の審査または承認プロセスが迅速化されるわけではなく、FDAによる最終的な承認を保証するものではありません。さらに、製品候補がファストトラック指定の資格を満たしている場合でも、FDAは後にその製品候補が資格の条件を満たしていないと判断したり、FDAの審査または承認の期間が短縮されないと決定したりする可能性があります。ファストトラックの指定は、FDAの優先審査手続きの資格を保証するものではありません。

当社はまた、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の適応、テモゾロミドを併用とする神経膠芽腫を適応とするMN-166（イブジラスト）の開発に対し、また特発性肺線維症（IPF）を適応とするMN-001（タイペルカスト）の開発に対し、オーファンドラッグの指定を受けています。これらの製品候補については、米国におけるオーファンドラッグの独占権を維持できない可能性があります。医薬品の開発に伴う不確実性のため、当社がオーファンドラッグ指定を取得した製品候補の販売承認を最初に取得できるわけではない可能性があります。さらに、当社がオーファンドラッグ指定の適応症よりも幅広い適応症についてFDAの販売承認を求める場合、米国における独占的販売権が制限される場合があります。さらに、オーファンドラッグの指定を受けた製品候補は、後にFDAが指定の申請に重大な欠陥があったと判断した場合、またはメーカーが希少疾病や難病患者のニーズを満たすのに十分な量の製品を確保できない場合、その指定を失う可能性があります。さらに、オーファンドラッグが承認された後、FDAが、後発医薬品の方が安全で効果的である、または患者ケアに大きく貢献すると結論づけた場合、同じ適応症で同じ医薬品の別の申請を承認する可能性があります。また、米国におけるオーファンドラッグの独占的販売権は、後にFDAが指定申請に重大な欠陥があったと判断した場合、またはメーカーが希少疾患や難病患者のニーズを満たすのに十分な量の医薬品を確保できない場合にも失われる可能性があります。さらに、当社が開発している製品と同じ疾患に対する製品について、他社がオーファンドラッグの独占権を取得する可能性があるため、そのような疾患に対する市場での当社の競争力が長期間にわたって制限される可能性があります。オーファンドラッグの指定は、医薬品の開発期間や規制当局の審査時間を短縮するものではなく、規制審査や承認プロセスにおいて製品候補に有利な点を与えるものでも、製品候補に優先審査の権利を与えるものでもありません。

オーファンドラッグ法に基づき、FDAは、稀な疾患や症状の治療を目的とした薬剤、または疾患や疾患に対する薬剤の開発と米国での入手にかかるコストが合理的に期待できない薬剤にオーファンドラッグの指定を与えることができます。オーファンドラッグ指定を受けた製品がその後、その指定を受けた適応症について初めてFDAの承認を受けた場合、その製品にはオーファン製品の独占権が与えられます。これは、FDAがNDAを含む他の申請を承認できないことを意味します。オーファンドラッグの独占権を有する製品に対する臨床上の優位性の証明などの限られた状況を除き、同じ適応症で同じ医薬品または生物学的製剤を7年間の独占販売権が付与されることになります。

当社は、現在または将来の製品候補の1つ以上について優先審査を求める場合があります。FDAの方針では、製品候補が治療、診断において市販薬と比較して顕著な改善をもたらす場合、製品候補はNDAの提出が受理されてから6か月

以内の審査の対象となります。FDAは、その医薬品のNDAがFDAに提出された後、その医薬品が優先審査の対象となるかどうかを決定します。したがって、当社の製品候補に対してNDAが提出されるまでは、それらが優先審査を受けるかどうかは保証できません。さらに、当社の製品候補の1つに対して優先審査が認められた場合でも、FDAは優先審査の6か月以内というPDUFA (Prescription Drug User Fee Act) 目標期限を必ずしも達成するとは限らず、追加情報や説明を求めるFDAの要求により審査プロセスが延長されることがよくあります。

当社は、現在または将来の製品候補の1つ以上についてファストトラックの指定を求める場合があります。ファストトラックとしての指定は、主にFDAの裁量の範囲内にあります。したがって、製品候補がファストトラックとしての指定基準を満たしていると当社が考える場合でも、FDAが同意せず、そのような指定を行わないことを決定する可能性があります。また、製品候補に対するファストトラックの指定を受けても、FDAの非迅速審査手順に基づいて承認が検討されている候補製品と比較して、より迅速な開発プロセス、審査、承認が得られるわけではなく、FDAによる最終的な承認を保証するものではありません。さらに、1つ以上の製品候補がファストトラックとして適格である場合でも、FDAは後にその製品候補が適格条件を満たしていないと判断し、指定を取り消す可能性があります。

FDAは、製品候補にファストトラックの指定及びオーファンドラッグの指定を与えるかどうかの広範な裁量権を持っています。したがって、製品候補がファストトラックの指定またはオーファンドラッグの指定基準を満たしていると当社が考える場合でも、FDAが同意せず、そのような指定を行わないことを決定する場合があります。たとえ当社がファストトラックやオーファンドラッグの指定を受けたとしても、従来のFDA手順に基づいて承認が検討されている医薬品と比較して、開発や規制当局の審査や承認プロセスが迅速化されるわけではなく、FDAによる最終的な承認が保証されるわけではありません。さらに、製品候補がファストトラックの指定及びオーファンドラッグの指定として適格である場合でも、後にFDAが適格条件を満たさなくなったと判断したり、FDAの審査または承認の期間が短縮されないと決定したりする可能性があります。当社が開発する製品候補について、ファストトラックの指定及びオーファンドラッグの指定または認可を取得できない場合、または該当する期間中その指定を維持できない場合、該当する製品の十分な販売を行う当社の能力が低下する可能性があります。製品候補の開発にかかる費用のバランスを取るため、当社の経営成績や財務状況にマイナスの影響を与える可能性があります。FDAは、指定が当社の臨床開発プログラムのデータによって裏付けられなくなったと判断した場合、ファストトラック指定を取り消すことがあります。ファストトラックの指定は、FDAの優先審査手続きの資格を保証するものではありません。当社の製品候補に対するファストトラックまたはオーファンドラッグの指定は、実際にはより迅速な審査プロセスにつながるわけではなく、審査プロセスまたは当社の製品候補の承認の遅れは、潜在的な販売からの収益を遅らせ、資金調達に必要な資本を増加させることとなります。

12. 当社が臨床治験を実施する製品候補が副作用を引き起こす可能性があります。また、その他にも薬事承認を遅らせたり、阻止したり、販売潜在力を限定する属性を持っているおそれもあります。

当社が臨床治験を実施するいかなる製品候補の副作用も、当社又は規制当局に臨床治験の中止、遅延若しくは中断させること、又はFDA若しくはその他の規制当局が一部若しくはすべての適応に対する薬事承認を却下することにつながり、また、それにより当社は開発プログラムの再評価を余儀なくされる場合があります。これにより、当社は当該製品候補の商品化ができず、販売による売上を上げることができなくなるおそれがあります。

また、当社が開発し販売承認を得た製品候補について、後から副作用を認識した場合、又は他者により副作用が認識された場合には、以下を含む重大なマイナスの結果を生じる可能性があります。

- ・ 規制当局が製品の承認を撤回する、又は処方に限定を課すこと
- ・ 規制当局が、リスクを相殺するに足るより大きい臨床効果を求めること
- ・ 規制当局が、製品の用途の範囲を狭めたり、製品の商業的成功を制限するような表示の追加を求めること
- ・ 製品の投与方法の変更を余儀なくされること。また、追加の臨床治験の実施、製品の表示の変更、リスク評価・リスク緩和戦略が必要になること
- ・ 製品の販売中止を余儀なくされること
- ・ 訴訟を起こされ、患者が被った損害に対し製造物責任を負わなければならないこと
- ・ 受諾可能な条件で提携契約を結ぶことができず、当社のビジネスモデルを実現できないこと
- ・ 当社の評判を損なうこと

13. 臨床治験の開始若しくは完了の遅れ、又は臨床治験の中断若しくは中止が、費用の増加及び製品候補の薬事承認獲得の遅延又は制限を招く可能性があります。

当社の臨床治験の開始又は完了に遅延が生じた場合、製品開発費用が大きく増加し、製品候補の薬事承認取得が遅れるか又は制限されるおそれがあります。臨床治験の開始及び完了には、十分な数の治験実施施設を特定し維持するとともに、それらの治験場に十分な数の患者を登録する必要があります。当社は、製品候補に関する今後の臨床治験の患者登録が予定通り完了するか、あるいは計画中又は実施中の追加臨床治験が予定通り完了するかについて、予想することはできません。

臨床治験の開始及び完了は、下記事由の遅延を含む様々な要因によって遅延する可能性があります。

- ・ 臨床治験の開始又は変更の承認
- ・ 想定されている臨床治験受託機関（「CRO」）及び治験実施施設との間で受け入れ可能な条件での契約締結に到ること。かかる条件は、多くの交渉を要し、また、異なるCROや治験実施施設との間では大きく異なってくるものです。
- ・ 臨床治験参加患者の勧誘及び登録
- ・ 臨床治験に参加したものの、治験プロトコル、効能がないこと、個人的な問題若しくは治療による副作用のため治験から離脱しようとする患者又はフォローアップできなくなった患者を維持・確保すること
- ・ 十分な量の製品候補を製造すること
- ・ 想定される治験実施施設における臨床治験を実施し、又は変更するため、治験審査委員会（「IRB」）の承認又は米国外の相当機関の承認を取得すること

加えて、下記事由を含む複数の要因によって、当社、FDA又はその他の規制当局は、臨床治験を遅延させ、中断し又は中止する可能性があります。

- ・ 当社の臨床治験の範囲若しくは計画に関する規制当局との継続的な協議を行った結果、又は当社の臨床治験結果に関して規制当局から補足的情報が要請された結果、INDに関し臨床治験の差し止めが課される場合。また、差し止めを解除し臨床治験を再開すべくFDAその他の規制当局の疑問を氷解させることができない場合
- ・ FDAその他の規制当局による当社、CRO又は臨床治験実施施設の実施する臨床治験に対する検査の結果、臨床治験の差し止めを受ける場合、又は、当該臨床治験に基づくデータを、製品候補の薬事承認の要請のためには利用できなくなる可能性がある場合
- ・ 当社、又は当社のCRO、臨床治験実施施設のスタッフ若しくは臨床治験に携わるその他の第三者業務提供業者の過失又は能力不足によって、規制基準又は当社の治験プロトコルに基づいた臨床治験を行わない、又は行うことができない場合
- ・ 臨床治験における患者の登録数又は確保率が予想を下回る場合
- ・ 臨床治験参加者に許容できないレベルの危険性又は予期せぬ副作用の問題に関する新情報又は許容不可能な健康被害があることが決定的となった場合
- ・ 臨床治験を行うために必要な製品候補やその他原料の供給不足又は品質欠陥
- ・ 臨床治験の継続に十分な資金（例えば、患者登録の遅れ、追加治験及び研究の実施の要請、当社のCRO又はその他の第三者との業務提携費用の増加による予期せぬコストの負担等を含む。）の欠如
- ・ 製品候補の組成又は用法は、意図せず患者の服薬不履行を招く可能性があり、このことが低い患者確保率、適切な分析を行うには不完全なデータ、及び臨床治験の未完了につながる場合

当社の臨床治験に遅延が生じる場合、当社製品候補の商品化の見通しは損なわれ、かかる製品候補の開発費用が増大し、かかる製品候補にかかる薬事承認の取得にも遅れ又は制限が生じます。臨床治験の開始又は完了を遅らせる種々の要因が、最終的に製品候補の薬事承認の拒否につながるおそれもあります。さらに、臨床治験のプロトコルの修正があった場合、当社は、IRB又は米国外の相当機関にプロトコルを再提出しなければならないおそれがあります。このことにより、臨床治験の完了が遅延し、又は費用、タイミングの問題や、臨床治験の首尾よい完了に影響が及ぼされることがあります。

14. 当社の製品候補の開発・販売を行う権利の喪失は、当社の事業を著しく損なう可能性があります。

当社は、製品候補の開発及び販売を行うために化合物の権利のライセンスを受けております。

当社には、相互に合意された諸条件に従って、これらのうちいくつかの製品候補を開発し、商品化する義務があります。ライセンス導入契約の諸条件の一部又は全部を当社が満たすことができるかどうかは、多くの要因に依存しており、この中には当社には制御不能な要因も含まれています。当社のライセンス導入契約は、当社が本契約に基づく義務について重大な違反を犯し、ある一定の期間内にかかる違反が治癒されない場合には、解除される可能性があります。

当社のライセンス導入契約のいずれかが終了した場合、当社は、かかるライセンスの対象となっている製品候補の開発及び商品化を行う権利を失うこととなります。また、製品候補に関するライセンス導入契約の終了も、当社の事業に著しい悪影響を及ぼすおそれがあります。

15. COVID-19の世界的なパンデミック、その他の疾患又は感染症、公衆衛生に関するその他の危機は、当社の事業、業績及び財務状況に悪影響を与える可能性があります。

2019年12月、COVID-19の流行が始まり、2020年3月には、世界保健機関は、COVID-19をパンデミックに認定しました。COVID-19のパンデミックは、世界経済に悪影響を与え、グローバル・サプライチェーンを混乱させ、金融市場の著しい変動及び混乱をもたらしました。さらにCOVID-19のパンデミックに対応して多くの州政府、地方自治体及び外国政府は感染拡大を抑制するために検疫、行政命令、自宅待機命令及び同様の行政命令や制限を実施しました。このような命令や制限の結果、事業の閉鎖、業務停止、減速や遅延、在宅勤務制度、移動制限、イベントの中止などが生じ、その結果、当社の事業、人員、第三者製造施設の人員及び原材料の入手可能性や価格などに影響を及ぼしました。現在進行中のCOVID-19の世界的流行は当社の事業及び経営に悪影響を及ぼし、又、今後も当社の事業及び経営に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。例えば、一部の臨床治験施設では臨床治験参加者の訪問数が減少し、その結果、当社の臨床治験への登録はパンデミックがなかった場合よりも遅くなったと考えています。当社はCOVID-19のパンデミックのようにグローバル・サプライチェーンの崩壊を含む経済や貿易の混乱をもたらすその他の疾患又は感染症、その他の公衆衛生危機によっても悪影響を受ける可能性があります。COVID-19のパンデミックの最終的な影響は、ほとんどの行政命令や制限が解除され、パンデミックの影響が薄れているにもかかわらず、非常に不確実であり、突然変化する可能性があります。COVID-19のパンデミックが当社の財務状況、流動性及び将来の業績に与える影響の範囲（当社が引き続き、予定期間内に製品開発プログラムを前進させることができるかを含みます。）は、このパンデミックの継続期間及び拡大、並びにそれに関連する移動や輸送の制限を含む今後の展開に左右されますが、それらはいずれも不確かであり、予測不可能です。グローバル・サプライチェーン及び経済の混乱が長期化すれば、当社の事業、業績、流動性の源泉へのアクセス及び財務状況に重大な影響が生じる可能性があります。

16. 当社の競合企業が当社よりも早く製品を開発・市販し、又は当社の製品候補よりも効果的、安全若しくは安価な製品を開発・市販した場合、当社のビジネス・チャンスに悪影響が及ぶ可能性があります。

バイオテクノロジー業界及び医薬品業界は、競争が激しく、急速で著しい技術変化の影響を受けます。当社は、米国内外において医薬品企業及びバイオテクノロジー企業、並びに複数の学術・研究機関及び政府機関との競争に直面しており、かかる競争には今後も継続的に直面することとなります。いくつかの競合企業は、当社の製品開発プログラムの目的と同じ疾病及び症状を対象とした製品を有しており、又はそのような医薬品の開発を試みております。競合企業による開発の結果、当社の製品候補が時代遅れになり、又は競争力をなくす可能性があります。競合企業の多くは、すでに承認を得ているか又はより進んだ開発段階にある製品候補を有しています。これらの競合企業が、当社の製品候補に比べより有効で、より安全で、価格が安く、投与方法もより簡便な製品の開発に成功してしまう可能性があります。さらに、当社の製品候補より先に特許権保護（patent protection）を受けてしまうことや商品化してしまうことも考えられます。また、当社が製品の承認を受けられたとしても、競合企業が、当社が承認を受けた製品候補の市場を限定的なものとしてしまうような、代替の治療法を開発するおそれもあります。しかも、医薬品業界では、他社の医薬品技術の開発や疾病の予防法などの新たな開発が、急速に起こります。その結果、当社の医薬品候補が時代遅れなものとなることや競争力をなくすことは十分あり得ることです。

当社が対象としている多くの疾病の分野では、潜在的な競合企業が異なる作用機序、魅力的な効能及び安全性プロ

フィールドを有する新しい化合物の開発に取り組んでおります。当社の競合企業の多くは、当社よりも多くの財源、研究・開発資源（人的資源及び技術を含みます。）、臨床治験の経験、製造、販売及びマーケティング力並びに製造設備を有します。小規模の企業も同様に、特に独自の創薬研究及び大手医薬品企業や既存のバイオテクノロジー企業との提携契約を通じて、重要な競合相手となる可能性があります。

これらの要因によって、当社の競合企業が、当社より先に薬事承認を取得する可能性、又は当社が製品候補を開発し商品化することを阻むような特許権その他の知的財産権を取得してしまう可能性があります。また、競合企業が、当社のものに比べより有効かつ安価な医薬品を開発する可能性があります。また、これらの競合企業が製品の製造・マーケティングにおいて当社より成功する可能性もあります。さらに、当社製品候補の開発や商品化の助けとなる適切な提携業者又はパートナーを決定するにあたっては、同様な競合に直面することが予想されます。

17. 選択された製品候補を開発及び商品化するために第三者パートナーとの戦略的な提携に依存することになります。かかる第三者との提携に至った場合、これら製品候補の開発及び商品化に関わる多くの重要な部分につき当社の管理が及ばないこともあります。

当社の主要戦略は、当社の選択した製品候補に関し、後期臨床治験及びその後の開発、商品化を手がける意欲のある大手医薬品企業との戦略的提携関係を探ることにあります。現在までのところ、当社はこうした提携関係を結んでおらず、また合意可能な条件で提携関係を築き、又はそれらの製品候補を商品化することはできない可能性もあります。

これらの戦略的な提携を結ぶことによって、資金について、並びに提携する製品候補の開発、薬事規制及び商品化に係る専門知識について、当社の提携先に依存する可能性があります。当社の製品候補のいずれかに関して戦略的な提携を成功裡に結ぶことができたとしても、当社はかかる製品候補の開発及び商品化に関連する多くの重要な要素について支配力を有しません。さらに、当社の提携先は、下記の理由により、当社の製品候補の開発又は効率的な販売を行えない可能性があります。

- ・ 提携先に十分な資源がない場合、又は、現金若しくは人材に限られているなど、内部的な制約により提携先が必要な資源を投入しないことを決定する場合
- ・ 提携先が、提携枠組みの外で、当社の製品候補と競合する可能性のある製品開発に取り組むことを決定する場合
- ・ 提携先が、必要な薬事承認を取得できない場合
- ・ 提携先が、市場機会を魅力的なものではないと決定する場合
- ・ 提携先が、複数の供給先から又は合理的な費用で、必要な材料の十分な量を製造できない場合

また、当社は、提携先を模索するにあたっては、世界中のバイオテクノロジー・医薬品企業と競合しています。これらの競合先の多くが当社より大規模であり、かつ財政的コミットメント、人材の提供又は開発、製造、薬事規制若しくは商品化における専門知識及びサポートの点で当社より魅力的な条件を提示することができるのです。

各製品候補につき、当社が提携先を確保し、受諾可能な条件で提携関係を結ぶことができなかつた場合、又はこれらの製品候補を商品化できなかった場合、当社は、当社の製品候補について、開発の完了又は薬事承認の取得に至らないこともあり得ます。このような場合、かかる製品候補から収益を生み出し、採算性を確保又は維持する当社の能力は、大幅に損なわれることになります。

18. 当社は、当社の臨床治験の実施において第三者に依存しており、これらの第三者が契約上の義務を果たすことができなかつた場合や期限を守らなかつた場合には、追加の開発費用の発生及び臨床治験の開始又は完了の遅延が起りうるとともに、当社の製品候補についてタイムラインの見込み通りに薬事承認が取得できず、また商品化できない場合があります。それにより当社の事業及び見通しに悪影響が生じる可能性があります。

当社には、臨床治験を単独で行う能力がありません。当社は現在、臨床治験の実施、データの収集及び分析並びに提出書類の作成に関する重要な役割の実施について、CRO、医療機関、治験医師、契約研究室及びその他の業務提供者などの第三者に広範囲にわたり依存しております。当社は、各臨床治験が治験計画又はプロトコルに沿って実施されるように現行の臨床治験の計画及び／又は管理を行っていますが、当社には、当社の製品候補の臨床治験のすべて

の過程を直接遂行する能力はありません。当社は、潜在的な将来の製品候補に関する追加的な臨床治験の実施について、引き続き第三者に依存することを想定しております。これらの第三者は当社の従業員ではなく、当社が当該第三者との契約に基づき利用することのできる救済措置を除き、当核第三者が当社の臨床治験にどれだけの資源をどのタイミングで投入するかを当社が管理する能力は限られています。これらの第三者の中には、当社との契約をいつでも終了できるものもあります。第三者との代替的な取り決めが必要となった場合、当社の開発活動に遅れが生じることになります。

FDAは当社及び当社が委託する第三者に、通常、適正臨床実施基準（「GCPs」）と呼ばれる規制や基準を遵守することを求めています。この基準は、臨床治験のデータ及び結果が科学的に正確で信頼性があること、並びに臨床治験の参加者が潜在的なリスクについて十分に説明を受けることを保証するために、臨床治験の実施、モニタリング、記録及び結果の報告に関して定められているものです。当該第三者に委託していることによって、GCPsに対する当社の責任及び義務が免除になるわけではありません。臨床治験の実施のために当社が採用するCRO、医療機関、治験責任医師、契約研究所及びその他の業務提供者は当社の社員ではないため、彼らが当社の製品開発プログラムに投入する資源の量及びタイミングについて、当社の支配が及ぶものでもありません。これらの第三者のいずれかが十分な注意や時間、資源を当社の製品開発プログラムにかけることを怠った場合、そのパフォーマンスが標準以下であった場合、又はFDAの査察を受けGCPsを遵守していないことが明らかになった場合等には、関係する臨床治験の完了及び影響を受ける開発プログラムの進展に遅れを生じるおそれがあります。契約により臨床治験の実施を委託するCRO及びその他の外部業務提供者は、臨床治験の実施及びその後のデータ収集・解析に重要な役割を果たします。CRO及びその他の外部業務提供者が義務を履行しない場合、当社の製品候補の臨床開発に悪影響を及ぼすことがあります。また、これらの第三者の中には、他の商業組織と関わりを持つものもあり、そのような商業組織が競合品を開発中又はすでに商品化している場合も考えられます。CRO、治験責任医師及びその他の業務提供者がこのような競合する企業を支持する場合、当社の競争上の地位が危うくなる可能性があります。さらに、当社のCRO及びその他の外部業務提供者の業務は、現在進行中のCOVID-19のパンデミックにより、制約を受けたり、障害が生じたりする可能性があります。第三者が契約上の義務を成功裡に履行しない場合や期限を遵守できない場合、又は何らかの理由で臨床データの質や正確性が損なわれた場合、当社の臨床治験は延長、遅延又は中止の事態に陥る可能性もあります。その場合、当社の製品候補に対する薬事承認を取得することができなくなる可能性が生じます。さらに、当社はこれらの業務を提供する代替取引先は多数あると考えておりますが、遅延又は追加支出なく取引先の変更を手配できる可能性は低いと思われれます。

CRO、治験責任医師及びその他の第三者の切替えや追加には、追加費用がかかり、経営陣の時間と注力を要します。さらに、新たなCROが業務を開始する際には、当然に移行期間が生じます。その結果、遅延が生じ、当社の希望どおり臨床開発のスケジュールを順守する能力に重大な影響が及ぶ可能性があります。COVID-19のパンデミックとそれに対する政府の施策も、多くのCROに大きな影響を及ぼしています。当社は、CRO、治験責任医師及びその他の第三者との関係を慎重に管理する予定ですが、それにもかかわらず、将来において課題や遅延が発生し、当社の事業、財務状況及び見通しに重大な悪影響が及ぶ可能性があります。

19. 当社は製品候補の生産を外部製造業者に依存しており、今後も依存する予定であるため、これにより当社の臨床治験及び製品の商品化に遅延が生じ、また費用が増える可能性があります。

当社には、製造設備がなく、また、近い将来において臨床治験用に又は商業営利目的で製品候補の製造設備を設置することを予定しておりません。当社は、臨床治験用に十分な数量の当社製品候補を共同で製造するために、外部製造業者と契約しております。また、当社は、FDAその他規制当局に薬事承認される可能性がある当社製品候補を商業販売用の十分な数量分製造するために、外部製造業者に依存しており、今後も依存することを想定しております。当社の製品候補を製造できる競争力のある供給先は他にもあると考えておりますが、供給契約締結に際しては、事業の遅延又は追加支出を要する可能性があります。これらの遅延又は費用については確定的な予測はできません。

外部製造業者に製造を委託していることにより、製造過程の一部に対する当社の支配力は限られています。そのことによって、当社は、薬事承認を受けた製品の商品化及び臨床治験を行う当社の能力に対するリスク、薬事規制の遵守及び品質保証を第三者に依存しているリスク、外部製造業者の長期にわたる供給の拒否又は能力欠如のリスク等の様々な深刻なリスクにさらされることになります。さらに、医薬品の製造業者は、特に初期生産の拡大などに関して、しばしば困難な問題に直面しています。これらの問題には、生産コストと利益の問題、製品候補の安定性や品質保証

検査など品質管理に関する問題、資格を有する人員の不足の問題、連邦・州・米国外の規制遵守の問題などがあげられます。また、COVID-19のパンデミックが、当社の外部製造業者による十分な数量の製品候補の製造に影響を及ぼす可能性もあります。契約外部製造業者が合意した条件を守らない場合も考えられます。外部製造業者が上記のような問題に直面した場合、臨床治験又は商業生産のために製品候補をタイムリーに製造することが困難になり、結果として臨床治験又は薬事承認の遅れ及び収益の逸失又は遅れを招きます。

当社は、商業的製造・供給契約を、製品の商品化のために必要な商取引法上合理的な条件では締結・維持できない可能性があります。このような必要とされる商業的供給契約の確保・維持ができなかった場合、供給の阻害や収益の逸失又は遅延が生じ、当社の事業に悪影響を与える可能性があります。製品候補の商業的規模の生産の準備に関わるいかなる遅れや問題も、FDAやその他の規制当局による製品候補に対する薬事承認の遅れや商業的規模の生産能力の低下につながり、当社の事業に悪影響を与える可能性があります。例えば当社と契約した外部製造業者は、多様な条件下における、商業的に実行可能な期間を通じた製品候補の安定性を示すために、特定量の製品候補を製造しなければなりません。当社及び当該契約外部製造業者は、製品候補の商品化に対する認可を受けるために、FDAその他の規制当局に対し、かかる製品候補の安定性のデータ、並びに製造法及びその過程の正当性を明示する必要があります。

当社の製造業者は、FDAの命じるcGMP及び（場合により）日米EU医薬品規制調和国际会議（「ICH」）の基準に従って業務を行わなければなりません。当社の外部製造業者が、cGMP及び/又はICHの基準を作成及び遵守できず、またかかる慣行の遵守を文書で立証できなければ、臨床治験の実施及び完了の著しい遅延、製品候補の薬事承認取得の著しい遅延、又は当社製品の市場での販売開始の著しい遅延が生じるおそれがあります。さらに、外部製造業者を変更することは困難です。例えば、特定の製品候補の外部製造業者を変えた場合、cGMPに基づいた製造過程及び手続の再審査が必要となり、多くの時間と費用がかかる可能性があります。また当社の製造業者が、当社が新しい製造業者に対し当社製品の製造過程及び手続を譲渡するのに十分な協力を行わない場合、又はこれらの過程若しくは手続の一部をカバーする知的所有権を保有しており、当社が当該知的所有権に関してライセンスを取得しなければならない場合もあります。当社の外部製造業者又は当社が適用規制を遵守しない場合、罰金、差し止め命令、民事賠償、薬事承認の遅れ、停止又は取消し、製品の没収又はリコール、業務制限及び刑事告発等の制裁が当社に課せられるおそれがあります。

20. 当社又は当社の外部製造業者は、十分な数量又は商業用規模で当社の製品候補を製造できず、その結果、製品候補の商品化が遅れたり、商品化ができなくなったりする可能性があります。

現在に至るまで、当社の前臨床研究及び臨床治験用製品候補の製造は少量にとどまっています。これらの製品候補のいずれかがFDA又は米国外の同種の規制当局による販売承認を得た場合、当社又は当社の外部製造業者は、かかる製品候補をより大量に製造しなければならなくなります。当社又は当社の外部製造業者は、当社の製品候補生産能力を、適時に若しくは合理的な方法で、又は全く成功裡に高めることができない可能性があります。大幅な製造規模の拡大は、新たに適格性の審査を必要とすることがあり、その場合、FDAによる審査及び承認を受けなければなりません。当社又は当社外部製造業者が製品候補の生産力を成功裡に高めることができない場合、当該製品候補の薬事承認若しくは市場での販売開始が遅れ、又は供給不足となる可能性があります。当社の製品候補には、精密かつ高品質の製造が必須となります。製造誤差の発生等で、外部製造業者と協力してこのような高い製造基準を達成し維持できない場合には、患者の障害若しくは死亡、製品のリコール若しくは回収、製品試験若しくは流通の遅延若しくは失敗、予算超過、又はその他当社の事業、財務状況及び業績を害するような問題を招く可能性があります。

21. 当社の製品候補を製造するために必要な原材料が、商取引上合理的な条件で、又は全く入手できず、当社製品候補の開発及び商品化が遅れが生じる可能性があります。

当社は、臨床治験用に製造する必要があるAPI及び製品候補の原材料の外部供給業者からの購入につき、当社製品候補の外部製造業者に依存しております。また、当社の製品のいずれかが販売承認を取得した場合に、当社の製品の販売流通に製造する必要があるAPI及び完成製品の原材料の外部供給業者からの購入につき、当社製品の製造業者に頼ることになります。当社の製造業者が当社の納品のスケジュールにあわせてかかる原材料を必要とする際に、又は商取引上合理的な条件で、供給業者が、製造業者に対して当該原材料を販売しない可能性があります。当社は、当社の製造業者によるこれらの原材料の取得のプロセス及びタイミングを管理することは一切できません。さらに、当社は現在、これらの原材料の製造について契約を締結していません。当社の製造業者

が臨床治験用にこれらの原材料を入手できない場合、かかる製品候補の製品試験に遅延が生じ、かかる製品候補の開発能力に著しい影響を与えることとなります。当社製品が薬事承認を取得した後、当社又は当社の製造業者がこれらの原材料を購入できない場合、当該製品の市場での販売開始の遅延又は製品の供給不足が発生し、かかる製品からの収益及び採算性の確保又は維持に悪影響を与えることとなります。

22. 当社の製品候補の製造方法又は製剤方法の変更により、追加の費用又は遅延が生じる可能性があります。

製品候補が前臨床段階から後期段階の臨床治験を経て、販売承認及び商品化に至る過程において、歩留まりや製造バッチサイズの最適化、コストの最小化並びに一貫した品質及び結果の達成のために、製造方法及び製剤処方のような開発プログラムの様々な側面が途中で変更されることが一般的です。このような変更は、意図された目的を達成できないリスクを伴います。このような変更により、製品候補の性能に違いが生じ、変更された材料を用いて実施される予定の臨床治験又はその他の将来の臨床治験の結果に影響を及ぼす可能性があります。これにより、臨床治験の完了が遅れ、ブリッジング臨床治験の実施又は1つ以上もしくは複数の臨床治験の繰り返しが必要になり、臨床治験費用が増加し、製品候補の承認が遅れ、製品候補を商品化して収益を上げる能力が脅かされる可能性があります。

23. 当社の製品候補が販売の承認を受けても、医師、患者及び医学界から受け入れられない場合、潜在的収益が制限されるおそれがあります。

FDA又はその他規制当局によって当社のいずれかの製品候補の販売承認が得られた場合でも、承認を受けた製品が、市場で、医師、医療従事者及び第三者支払機関によりどの程度受け入れられるか、その結果、当社の採算性及び成長性がどの程度のものになるかは、下記事項を含む複数の要素に左右されます。

- ・ 効能及び安全性の実証
- ・ 適応症に対する標準療法の変更
- ・ 相対的な利便性及び投与の簡易度
- ・ 副作用の頻度及び重症度
- ・ より安価なジェネリック医薬品等の代替治療の有無、その費用及び有利性
- ・ 規制の対象となりうる価格の設定及びコストパフォーマンス
- ・ 当社又は当社の提携先による営業及びマーケティング戦略の有効性
- ・ 当社の製品又は競合製品に関する広報
- ・ FDA又は米国外の規制当局により要求されている製品表示及び説明書
- ・ 第三者支払機関からの十分な保険金給付又は支払償還の有無

当社が開発する製品候補が、現在の標準療法と同程度に有益な若しくは有益とみなされる治療法を提供できない場合、又は患者に効果をもたらさない場合、かかる製品候補は、仮に商業販売に向けたFDAその他の規制当局からの薬事承認を受けた場合であっても、市場において受け入れられる見込みがなくなると考えられます。薬事承認を取得した製品を効果的に宣伝し販売できるかは、競争力ある価格で医薬品を製造できるか、第三者支払機関の給付又は支払償還を受けることができるかなど、価格の設定及びコストパフォーマンスにかかっています。薬事承認を取得した製品候補が、医師、患者及び第三者支払機関から適切な支持を得られない場合、当社が当該製品から収益を上げる能力は、大幅に縮小されます。また、当社の製品候補の有益性について医薬品業界や第三者支払機関に理解してもらうためには、多大な資源が必要となり、必ずしも成功するとは限りません。

24. 当社の製品が市場に受け入れられない場合、又は当社製品のユーザーが政府若しくは第三者支払機関から適切な給付や償還を得ることができない場合には、当社の収益及び採算性に悪影響を及ぼします。

承認された場合に当社が製品候補を成功裡に商品化できるか否かは、当社が競争力のある価格で製品を製造することができるか、政府当局、民間の健康保険会社、又は保険維持機構（HMOs）をはじめとするその他の保険機関から製品に対していかに適切な保険金給付及び支払償還並びに関連する手当てを受けることができるかなど、価格の設定及びコストパフォーマンスに大きく依存します。第三者支払機関は、昨今、医薬品や医療サービスの価格に異議を唱えることが増えています。従って第三者支払機関が、当社の製品について、費用効果があると判断するか否か、又は、当社製品の全部若しくは一部につき保険金給付若しくは支払償還を行うか否かについて、当社に確証はありません。

新しく承認された医薬品及び医療サービス並びに新しく承認された既存の医薬品の適応症に関して、保険金給付又は支払償還が認められるか否かは不確実です。第三者支払機関は、当社の製品について、既存の競合品よりも安全性、効能、又はコストパフォーマンスの点で劣っていると判断し、保険金給付及び支払償還を認めない可能性があります。仮に当社製品について第三者支払機関から保険金給付や支払償還を得ることができなければ、医師は、当社の製品の処方又は投薬の数量や条件を制限するおそれがあります。かかる当社製品の使用の削減又は制限は、売上を削減する可能性があります。第三者支払機関が償還を認めたとしても、その支払のレベルが十分でないために、当社製品の売上の収益性が低くなるおそれがあります。

米国又はその他の主要なマーケットにおいて、製品候補が市場に受け入れられるか否か及びその売上は、おおむね医療費還付のポリシーによって決定づけられます。また、米国における絶え間ない医療制度改革が医療又は医薬品の購買力を支配し、大きな影響を与えています。さらに結果として当社の製品に対する保険金給付及び支払償還を不十分なものにすることもあり得ます。多くの第三者機関は、医療コストを削減するため、医薬品リストの使用等を含む様々な方法を試みています。当社の製品のマーケット展開は、この医薬品リスト（かかるリストに掲載された医薬品に対して第三者支払機関が支払償還をするという意味を持った医薬品のリスト）に載るかどうかが鍵を握っています。かかる医薬品リストは、非常に限られた製品しか掲載しなくなってきたため、医薬品企業は、医薬品リストに自社の製品を載せようと、激しくしのぎを削っています。こうした競争の強化が、医薬品業界における価格引き下げの圧力となっています。政府関連支払機関を含む第三者支払機関が引き起こしているコスト抑制策が、当社の採算性にも重大な悪影響を及ぼすおそれがあります。

25. 当社は、経営陣（とりわけ代表取締役社長やチーフ・エグゼクティブ・オフィサー）及び経験豊富な科学知識を有する人員に依存しており、当社が、主要従業員を維持し、鼓舞し、確保することができなければ、当社の製品開発プログラムに遅延が生じ、当社の製品候補の開発又は商品化を成功裡に行えない可能性があります。

当社は、執行役及びその他の主要従業員、とりわけ設立者であり当社代表取締役社長兼チーフ・エグゼクティブ・オフィサーを務め、設立当初より日本の医薬品企業からの製品候補のライセンス導入及び日本企業からの資金調達に尽力してきた岩城裕氏による継続的な業務の執行に依存しております。製品候補の当社へのライセンス導入を行っている医薬品企業及び当社からのライセンス導入を予定している医薬品企業との間に当社の主要な経営陣が築いた関係は、雇用、取締役会における業務遂行又はコンサルティング契約のいずれによるかを問わず、当社を主要な経営陣の継続的な業務遂行に著しく依存させる結果となっています。また、当社は、当社の製品開発プログラムが高度に技術的な性質を有するため、臨床開発責任者による継続的な業務の遂行に実質的に依存しております。現在のところ、当社の執行役又は主要な従業員が退職する予定はありません。退職した個人は、退職後に当社と競合するその他の事業に従事することが可能です。

当社が新規の製品候補の獲得又はライセンス導入を行った場合、当社の成功は、これらの新しい製品候補の開発を管理する有能な経営陣及び科学知識を有する人員を確保し、維持し、鼓舞できるかに左右されます。特に、当社の製品開発プログラムは、当社がいかに経験豊富な臨床開発の人員を確保し、維持できるかにかかっています。しかしながら、経験豊富な専門職をめぐっては、当社は多数の企業及び学術機関並びにその他研究機関との獲得競争に直面しております。当社の本社所在地であるカリフォルニア州サンディエゴにおける有能な人材の獲得競争は特に激しいものであります。また、当社は、製品開発又は臨床戦略に関して当社に助言を行う、科学アドバイザー及び臨床アドバイザーを擁しております。しかし、これらの第三者アドバイザーは当社の社員ではなく、他の組織との間で、彼らの当社への貢献を限定的なものとするコミットメント又は契約を締結している可能性があります。また、他の企業と、当社の製品候補と競合する製品の開発に協力する協定を締結している可能性もあります。

当社は経営陣の主要メンバーとの間で雇用契約を結んでおりますが、当社の各従業員は、適切な通知要件に従って、常時その雇用関係を終了することができます。当社には、上級管理職のメンバーをカバーするための「主要役員」の保険がありません。当社が主要な経営陣のいずれかを失えば、適切な代替要員を見つけられず、当社の事業に障害が生じることがあります。

26. 当社が単独であるいは第三者と協働で販売・マーケティング・流通能力を構築できない場合、当社は、製品候補の商品化を成功裡に行えなくなることが考えられます。

現在に至るまで、当社は、医薬品の販売、マーケティング又は流通を一切行っておりません。当社が、自社のいずれかの製品候補につき薬事承認の取得に成功し、又はその他の承認済みの製品を取得すれば、当社は当該製品の商品化のため、販売、マーケティング及び流通能力を、当社自身で又は提携先と共に構築することが必要となります。効果的な販売体制及びマーケティング基盤を獲得又は開発するためには、多額の資金及び時間を要するものと考えられ、製品発売の遅れなど、商品化に悪影響を与えるおそれもあります。当社は、適時に又はコストパフォーマンス良く、十分な又は効果的な販売体制を構築及び管理することができない可能性があり、全く構築及び管理できない可能性もあります。また、当社が構築した販売体制については、当社の製品に対する需要を喚起できない可能性もあり、その場合、当社が収益を上げ、採算性を確保又は維持することは難しくなります。加えて、当社が社内販売能力を構築することができなければ、製品販売を目的として、外部業者と契約を結ぶか、あるいは提携を結ぶことが必要となります。当社が、独自であること第三者と提携することを問わず、適切に販売・マーケティング・流通能力を構築することができない場合は、製品から収益を得ることができず、増加費用が生じ、採算が取れない可能性があります。さらに、当社は米国外において、販売に向けて薬事承認を受けた製品を販売するために戦略的な提携を成立させる予定ですが、このような提携を結ぶことができない場合、当社が直接米国外で当社の製品候補を販売する必要性が生じる可能性があります。この場合、当社はこれに対応して、実務的専門性と販売を支援する流通力を持った国際的販売・マーケティング能力を構築しなければならない可能性があります。

27. 医療保健改革政策は当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

医薬品企業及びバイオテクノロジー企業の事業及び財務状態は、政府及び第三者支払機関による医療保健の費用を抑制し、又は削減する試みに影響を受けます。米国及び米国以外の法域において、医療保健制度の仕組みを変えようとする多くの立法及び規制の提案がこれまでになされてきており、また、これからもなされるであろうと予想されます。例えば、米国以外のいくつかの国においては、処方薬の価格は政府によって管理されており、当社は、同様の管理を米国でも行うべきだとする提案が継続してなされるだろうと予想しております。もう一つ当社の事業への影響があると予想される改革の提案例は、米国への医薬品の再輸入をめぐる現在の議論です。さらに、かかる提案が未決定の間又は承認された場合、当社の株価、当社の資本調達能力、又は当社の戦略的提携若しくはライセンスを獲得する能力を低下させるおそれがあります。より最近では、非常に多くの医療改革を規定する医療保険改革法案が成立し、これによりコスト、法律的要求事項及び当社の事業に影響が及ぶおそれがあります。

28. 欧州経済領域における臨床試験プログラム、マーケティング、または研究協力は、英国で実施されたものを含むEU一般データ保護規則“GDPR”の対象となります。

GDPRは、EEAに設立された企業だけでなく、EEAに設立されていない企業に対しても、特に(i)EEAに所在する個人に対する商品またはサービスの提供、または(ii)EEAに所在する個人の行動のモニタリングに関して個人データを収集及び使用する企業にも適応されます。当社がEEAで臨床試験プログラムを実施する場合（臨床試験が当社によって直接実施されるか、臨床試験ベンダーまたは共同研究者を通じて実施されるか問わない）、またはEEA内の個人モニタリングを伴う研究協力を締結する場合、または、EEA内の個人に当社製品を販売する場合、当社はGDPRの適用を受けることとなります。GDPRは、個人データの処理者及び管理者に対し、例えば、個人情報データを処理するための個人からの同意（または他の適切な法的根拠への依拠）を得るための高い基準、個人データがどのように収集され、処理されるかに関する個人への強固かつ詳細な情報開示（簡潔で分かりやすく、容易にアクセス可能な形式）の提供、包括的な個人のデータ権利体制（アクセス、消去、異議、制限、修正、ポータビリティを含む）、データ処理の記録の管理、EEAからのデータ移転に適用されるデータ輸出制限、データ保護規制当局または監督当局（および場合によっては影響を受ける個人）への迅速な特定のデータ侵害通知および個人データの保持の制限など、厳格な運用要件を定めています。GDPRはまた、健康データおよびその他の特別なカテゴリの個人データに関する要件を強化し、仮名化された（すなわち、キーコード化された）データも適用範囲に含めています。さらに、GDPRは、EEA加盟国が遺伝子データ、バイオメトリクスデータ、または健康データの処理を制限する独自の法律および規制を制定する可能性があることを規定しており、当社のデータの収集、使用、共有が制限される可能性があり、それにより当社のコストが増加する可能性があります。さらに、当社が個人データの処理に関連して第三者処理業者と契約する場合、一定の義務が生じます。当社または当社の協業者もしくはサービス・プロバイダーのプライバシーまたはデータ・セキュリティ対策がGDPRの要件に準拠しない場合、当社は訴訟、規制当局による調査、個人データの使用方法を変更するよう求める強制通告、または最高2,000万ユーロまたは前会計年度の全世界の年間総収入の最高4%のいずれか高い方の罰金、集団訴訟型の

訴訟を含む影響を受けた個人による賠償請求、否定的な評判、風評被害、事業および信用の潜在的損失の対象となる可能性があります。さらに、英国のEU離脱に伴い、当社はGDPRおよび英国で実施されているGDPRを遵守しなければならなくなり、各政権はそれぞれ2,000万ユーロ/1,750万ポンドまたは世界売上高の4%のいずれか高い方の金額を上限とする罰金を科すことができます。データ保護法の特定の側面に関する英国と欧州連合（EU）の関係は、それぞれの司法管轄区間で合法的にデータを移転する方法など、依然として変更の可能性があります、そのため当社はさらなるコンプライアンス・リスクにさらされています。

29. 当社は環境・衛生・安全に関する法律や規制の適用を受けており、環境コンプライアンスや修復活動に関連して賠償責任や多額の費用にさらされる可能性があります。

開発、試験、製造活動を含む当社の事業は、数多くの環境、衛生、安全に関する法律および規制の対象となります。これらの法規制は、特に化学溶剤、ヒト細胞、発がん性化合物、変異原性化合物、生殖毒性化合物などの有害物質や生物学的物質の管理された使用、取り扱い、放出、廃棄、および登録簿の維持管理、実験手順、血液媒介病原体への暴露について規定しています。このような法規制を遵守できなかった場合、罰金などの制裁を受ける可能性があります。

当社と同様の活動に従事する他の企業と同様、当社は、有害物質や生物学的物質の放出や暴露に関する責任を含め、現在および過去の活動に内在する環境責任リスクに直面しています。環境・衛生・安全に関する法律や規制はさらに厳しさを増しており、当社は将来の環境コンプライアンスや環境改善活動に関連して、多額の費用が発生する可能性があります、その場合、第三者の製造活動や当社の開発活動が中断または遅延する可能性があります。

30. 私たちは米国および海外腐敗行為防止、マネーロンダリング防止、輸出管理、制裁、その他の貿易関連法規の適用を受けます。違反した場合、私たちは深刻な結果に直面する可能性があります。

米国および海外腐敗行為防止、マネーロンダリング防止、輸出管理、制裁、その他の貿易関連法および規制（これらを総称して貿易法と呼びます）は、特に企業およびその従業員、代理人、臨床研究機関、顧問弁護士、会計士、コンサルタント、委託業者、その他のパートナーが、官民を問わず受領者との間で汚職的または不適切な支払いやその他の有価物を直接または間接的に承認、約束、申し出、提供、勧誘、受領することを禁じています。さらに、当社製品の輸出は、米国政府が課し、米国国務省、商務省、財務省が管理する輸出管理および制裁に関する法規制の対象となります。米国の輸出管理法は、特定の仕向地やエンドユーザーへの製品輸出にライセンスやその他の許可を必要とする場合があります。さらに、米国の経済制裁法には、米国の制裁対象国、政府、個人、団体から投資や融資を受けたり、製品やサービスの販売や供給に関与したりすることを含む、あらゆる取引や取引への関与に対する制限や禁止が含まれています。

貿易法に違反すると、多額の刑事罰や民事罰、禁固刑、貿易特権の喪失、取引停止、税金の再徴収、契約違反や詐欺訴訟、風評被害、その他の結果を招く可能性があります。当社は、政府機関や政府関連病院、大学、その他の組織の職員や従業員と直接的または間接的に交流することがあります。また、米国外での活動も今後増加すると予想されます。当社は研究、前臨床試験、臨床治験、および/または必要な許認可、ライセンス、特許登録、その他の販売承認の取得については、第三者に依存することが予想されます。当社は、当社の従業員、代理人、またはパートナーの不正行為またはその他の違法行為について、たとえ当社がそのような行為を明示的に許可していなくても、または事前に知っていなくても、責任を問われる可能性があります。貿易法の変更により、国際的な事業の展開において既存または潜在的な顧客に対して当社のソリューションを輸出または販売する能力が低下する可能性があります。また、将来的な貿易法の変更および施行により、コンプライアンス要件及び関連コストが増加し、当社の事業、経営成績、財政状態および/またはキャッシュ・フローに重大な悪影響を及ぼす可能性があります。

31. 当社は製造物責任について訴訟を起こされる可能性があります、これによって当社の利用可能な経営資源を超える重大な債務が生じ、かつ当社の評判を悪化させる可能性があります。

製剤の開発及び商品化には、重大な製造物責任のリスクを伴います。当社が臨床治験に製品候補を使用する場合及びいずれかの承認済みの製品を販売する場合に、製造物責任に関する請求が生じる可能性があります。かかる請求に

対して、成功裡に防衛することができない場合、多大な賠償責任を課されることがあります。メリットや最終的な結果にかかわらず、製造物責任補償請求は下記の結果を引き起こすおそれがあります。

- ・ 臨床治験参加者の離脱
- ・ 臨床治験施設の使用又は臨床治験そのものの中止
- ・ 製品候補に対する需要の減退
- ・ 当社事業の評判の悪化
- ・ 関連訴訟費用の発生
- ・ 患者その他の原告に対する相当額の仲裁金の支払
- ・ 収益の喪失
- ・ 当社製品候補の商品化の失敗

当社は現在、当社の臨床治験に保険を付しております。当社は、現段階では合理的に十分な保険を付していると考えておりますが、当社の付した保険では、当社の被る可能性のある損失や費用をすべて補償することができないおそれがあります。また、当社が新たな臨床治験又はより大規模な臨床治験を開始する場合、並びに当社の製品候補の販売が承認された場合には、当該保険の補償範囲を増大及び拡張する必要があります。かかる保険は非常に高額となり、又は当社の潜在的債務を十分に補償できない可能性があります。さらに、合理的な価格で十分な保険を付すること又はその他により潜在的な製造物責任請求を防衛することができなければ、当社又は当社のいずれかの提携先が開発する製品の薬事承認又は商品化が妨げられる可能性があります。製造物責任請求が認められれば、当社の事業及び業績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。当社のいずれかの製品候補から被害が生じたと主張する第三者が提起する訴訟に当社が勝つことができない場合、かかる請求による債務は、当社の総資産額を超えるおそれがあります。

32. 当社は業績の変動を予想しているため、四半期ごとの実績から将来の実績を予見することは困難です。

当社の四半期ごとの業績は、過去不安定に推移しており、これからも同様の状況が続くものと思われま。当社の業績が四半期ごとに変動する要因には、以下のものがあげられます。

- ・ 当社の製品候補の開発の状況、特に、当社の製品開発プログラムに関する活動の前進又は終了、及びライセンス契約に基づくマイルストーンの支払のタイミング
- ・ その他の提携契約、ライセンス契約その他これらに類似の契約の締結及びかかる契約に基づき当社がしなければならない支払又は受領のタイミング
- ・ 当社の製品開発プログラムに関わる費用の水準の変化
- ・ 期中に発生した提携関係がもたらす予見不可能な影響
- ・ 適用される規制要件（もしあれば）を当社が充足するタイミング
- ・ 当社の臨床開発及びその他の社内研究開発努力の拡大の程度
- ・ 訴訟の費用
- ・ 競合技術及び競合製品並びに市場の進展の影響
- ・ 全般的な経済状況及び業界特有の経済状況

当社の決算の四半期又は年次による比較には必ずしも意味があるとは思われず、将来の実績を予測する目安にすべきとは思われま。せん。

33. 当社は公開会社であるために、事業運営により大幅に増大するコストを継続的に負担することになります。当社の経営陣は、多大な時間を新たなコンプライアンスへの取り組みに充てなければなりません。

公開会社である当社は、SEC及びNasdaq市場が施行する規則並びに日本の金融商品取引法その他、2002年サーベンス・オクスリー法（「SOX法」）の遵守を義務付けられているため、相当額の弁護士、会計士その他の費用を負担しなければなりません。これらの規則は、有効な開示及び財務に関する統制、並びに適切なコーポレート・ガバナンスに関わる実務の確立及び維持をはじめとして、公開会社に様々な要求項目を課しています。当社の経営陣をはじめとする関係者は、これらのコンプライアンスについての取り組みを行うためにすでにかかなりの時間を費やし、またこれからも引き続き多くの時間を費やすと思われま。せん。その上、かかる規則は、当社が弁護士及び会計士に支払うコンプライア

ンス関連の費用を増大させ、また、当社の取締役や執行役の損害保険の更新をより難しく高額なものとしています。その結果、保険範囲及び保険金給付の範囲の縮小に甘んじることとなります。

SOX法は、(i)財務報告及び開示のコントロール・手続に関する有効な内部統制の維持並びに(ii)SOX法404条の規定に従い、経営陣による当社の内部統制の有効性の報告を可能にするための財務報告に関する内部統制の評価を行うことを要求しております。東京証券取引所スタンダード市場の上場規則は、当社にSOX法404条か、日本の同趣旨の規定のいずれかに従うことを求めています。当社はSOX法404条に従うことを選択しました。また、当社は、2023年12月31日現在の財務報告に関する内部統制について、日本の金融商品取引法に基づき、当社の独立登録会計事務所の監査証明を受ける必要があります。SOX法404条及び関連規定を遵守するために、当社は、相当の財政的資源及び経営資源を費やしており、今後も費やし続けることを義務付けられております。当社は、将来、統制システムの有効性に関して重要な弱点が生じないと確認することはできません。重要な弱点が発見された場合、SEC、東京証券取引所及びNasdaq株式市場その他の規制当局による制裁又は調査の対象となるおそれがあり、その結果、財政的資源及び経営資源の追加的な負担を余儀なくされ、さらに、費用のかかる訴訟や当社の内部統制に対する世間の信用の失墜などを引き起こすことがあります。こうしたことが起これば、当社の株価に悪影響を与えるおそれがあります。

さらに2010年7月には、ドッド・フランク・ウォールストリート改革及び消費者保護法(ドッド・フランク法)が成立しました。ドッド・フランク法には、コーポレート・ガバナンス及び執行役員の報酬に関連した重要な規定が多く定められ、これに従って、SECも追加の規定を多く定めなければなりません。コーポレート・ガバナンスや公的開示において高い行動基準を維持するために、当社は、このような遵守プログラムや規則、基準を守るために合理的な範囲で資本を投資しています。これらの投資が、一般管理費を増大し、経営陣の時間やコミットメントを戦略的な利益創出・費用管理活動から奪ってしまうおそれがあります。

34. 当社、又は当社のCRO若しくはその他の請負業者やコンサルタントは、情報技術システムの障害、ネットワークの崩壊、データ・セキュリティ侵害並びにコンピューター犯罪及びサイバー攻撃の対象となる可能性があり、その結果、当社の製品候補の開発プログラムに重大な混乱が生じ、当社の事業に関する機密情報が漏洩し、当社による重要な情報へのアクセスが妨げられ、当社が債務を負い、当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

当社は、事業運営において、情報技術システム、インフラストラクチャー、及びデータにますます依存しています。当社は、通常の業務の過程において、機密情報(知的財産、専有独自のビジネス情報及び個人情報を含みますが、これらに限られません。)を収集、保存及び伝達しています。当該機密情報の機密性及び完全性を維持するためには、安全な方法でこれを行うことが極めて重要です。当社はまた、業務の一部を第三者に委託しており、その結果、当社の機密情報にアクセスすることができる第三者の請負業者を多数管理しています。

情報技術システムの障害、ネットワークの崩壊、データ・セキュリティ侵害並びに巧妙かつ標的型のコンピューター犯罪及びサイバー攻撃は、当社の医薬品開発プログラム(当社の規制努力、商品の製造若しくは出荷、取引の処理又は決算報告の遅延を含みます。)を妨げ又は機密情報の意図的な開示を生じさせることで、当社の業務に支障を来す可能性があります。当社のセキュリティ対策にかかわらず、当社の情報技術及びインフラストラクチャーは、ハッカーの攻撃に対して脆弱であるか又は従業員の過失、不正行為その他の妨害により侵害を受ける可能性があります。かかる侵害により、当社のネットワークは危険に晒され、ネットワークに保管されている情報は、アクセスされ、公表され、紛失又は盗難されるおそれがあります。当社は、通常の業務過程において、自社のデータセンター及びネットワークにおいて、機密データ(知的財産、独自のビジネス情報及び当社のビジネスパートナー及び従業員の個人情報を含みます。)を収集及び保管します。扱いに注意を要する機密又は個人のデータ又は情報を保護するための当社の努力にかかわらず、当社の設備及びシステム並びに当社の第三者業務提供者の設備及びシステムが、扱いに注意を要する機密又は個人のデータ又は情報の漏洩、当社のシステム、ソフトウェア・ソリューション又はネットワークの不正使用、情報の不正アクセス、使用、開示、変更又は破壊、欠陥品、生産休止及び業務の妨害を引き起こす可能性のあるセキュリティ侵害、窃盗、データの紛失若しくは喪失、プログラミング及び/又はヒューマン・エラーを受け、当社の評判、競争力及び営業実績に悪影響をもたらす可能性があります。経営陣は、従業員の研修、特定のデータ及びシステムの冗長性、硬化及びフェイルオーバーの実施のほか、当社のネットワーク及びシステムの包括的なモニタリング、バックアップ及び保護システムの保守及びその他の内部統制措置を行うことでかかる懸念に対応するための措置を講じてきたものの、システム障害、データの紛失又はセキュリティ侵害が発生した場合に、現在まで実施してきた措置が十分であるという保証はありません。その結果、かかる障害、データの紛失又はセキュリティ侵害が

発生した場合、当社の財務状況及び営業実績が悪影響を受けるおそれがあります。

35. COVID-19パンデミックを含む健康疫病、不利な市場環境、規制および政策の変更、継続的な地政学的問題から生じるマクロ経済的圧力は、当社の事業、財務結果、株価、経営成績、ならびに現在および潜在的顧客の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

COVID-19パンデミックの深刻さは大幅に軽減されたものの、パンデミックは、一人当たりの資本所得や可処分所得の減少、インフレ、金利上昇、サプライチェーン問題など、マクロ経済環境に大きな悪影響を及ぼしました。また、継続的な地政学的問題も、マクロ経済状況を悪化させ、サプライチェーン問題を深刻化させる要因となっており、その結果、経済の不確実性が大きくなり、金融市場の変動や、特に米国では新たな規制や政策が打ち出されています。このような状況は、当社の事業、業績、見通し、および対象顧客の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。さらに、このようなマクロ経済情勢は、当社の事業や戦略的目標を遂行するために適切または必要なときに、当社が公開市場にアクセスする能力に影響を与える可能性があります。このような状況の継続的な範囲、期間、深刻度、および当社が影響を受ける可能性の程度を予測することはできません。

マクロ経済情勢が悪化した場合、当社の事業、業務および業績に悪影響が及ぶ可能性があります。さらに、COVID-19パンデミックやその他の健康上の伝染病や流行病が再発した場合、当社の事業が中断され、事業に悪影響が及ぶ可能性があります。このような混乱や影響は、COVID-19パンデミックの際に当社が直面したものと類似している可能性があります。例えば、影響を受けた地域での事業閉鎖の義務付け、従業員やその家族の自宅待機命令や病気による従業員リソースの制限、当社の事業運営や対象となる公益事業および重要インフラ顧客の事業運営の縮小などが挙げられ、これらすべてが当社の事業、財務状況、株価および経営成績に悪影響を及ぼす可能性があります。

36. 当社はインフレの影響を受ける可能性があります。

インフレは、特に当社が顧客に請求する価格を相応に引き上げることができない場合、当社の全体的なコスト構造を上昇させることにより、当社の事業、経営成績、財政状態および流動性に悪影響を及ぼす可能性があります。経済におけるインフレの存在は、金利や資本コストの上昇、供給不足、人件費の増加、その他同様の影響をもたらす可能性があります。インフレの結果、労務費、資材費、エンジニアリング・コンサルタントなどの投入コストが上昇する可能性があります。当社はこのようなインフレの影響を軽減するための対策を講じる可能性があります。これらの対策が有効でない場合、当社の事業、経営成績、財政状態および流動性に重大な悪影響が及ぶ可能性があります。このような対策が有効であったとしても、これらの有益な措置が当社の業績に影響を与える時期と、インフレによるコストが発生する時期との間に差異が生じる可能性があります。

37. 国際的に当社が事業を行い、製品を販売することに付随する様々なリスクが、当社の事業に深刻な悪影響を及ぼす場合があります。

当社の事業のうち相当の割合が、米国外で営まれています。当社は、薬事、価格、還付・償還、税金、政治あるいは労働に関する非協力的又は不利な状況など、国際的な営業活動に付随し当社の事業を脅かすリスクにさらされています。これらのリスクには、下記の例があげられます。

- ・ 当社の製品に対する、国ごとに違う、又は予期しない薬事要件の遵守
- ・ 米国外での人員確保及び事業の困難さ
- ・ 当社の製品候補をヨーロッパで販売する場合などある状況下では、販売業者又は戦略的提携先に販売努力を過度に依存してしまう可能性
- ・ 米国外の政府の税、規制、許可要件
- ・ 米国及び米国外の政府の関税、貿易制限、価格、為替管理及びその他の規制要件
- ・ 特定の国々においては、インフレ、自然災害、戦争、テロ、又は政情不安を含む経済的弱点
- ・ 営業費用の増加及び収益の減少をもたらす通貨の為替レートの変動、並びに米国外における事業運営に関連するその他の義務
- ・ 海外に居住(旅行)する従業員に関わる税、雇用、移住、労働法、規制規則などの遵守
- ・ 米国よりも労働不安がよく見られる国における労働力の不確実さ
- ・ 外交及び貿易関係の変動

- ・ 特に、米国と同程度に知的財産権を尊重、保護しない国において、契約上の権利又は知的財産権を行使することへの異議申し立て

上記を含む、国際的に事業を展開することに付随するリスクが当社の事業、財務状態及び経営成績に深刻な影響を及ぼすおそれがあります。

当社の知的財産に関連するリスク

1. 当社が適切に当社の財産権を保護しなければ、当社の競争力が低下する可能性があります。

当社の特許（当社の所有する特許及びライセンス導入した特許の双方を含みます。）が競争上の優位性をもたらすことができないリスクが存在します。例えば、当社の一つ又は複数の製品候補について当社が薬事承認及び販売承認を取得する前に、当社の特許、とりわけライセンス導入した特許が期限を迎えてしまう場合があります。また、当社の競合企業が、当社の知的財産権が及ぶ範囲を超える方法論及び技術を駆使して、当社製品と類似する製品を開発する可能性があります。APIについての組成物特許は、組成、用法その他の制限に関係なく、医薬品を保護する可能性があります。当社は、当社製品候補のMN-166（イブジラスト）、MN-001（タイペルカスト）及びMN-221（ベドラドリン）のAPIについて、化合物特許による保護を有しておりません（但し、MN-001（タイペルカスト）の特定の結晶多形については特許による保護、及びMN-166（イブジラスト）類似体については組成物の発明に関する保護を有しております。）。その結果、必要な薬事承認を取得している競合企業は、当社が保有し又は当社のライセンサーを通して独占的な権利を有する、使用方法、製造方法、処方又は（特にMN-001（タイペルカスト）の場合には）特異的多形特許に関する特許を侵害しない限り、MN-166（イブジラスト）、MN-001（タイペルカスト）及びMN-221（ベドラドリン）に含まれるものと同じAPIを使用した製品を販売することができます。例えば、当社はMN-029（デニブリン）に関する化合物特許を保有していますが、MN-166（イブジラスト）、MN-001（タイペルカスト）及びMN-221（ベドラドリン）に関して、現在使用方法の特許に依存しております。

当社が許諾を受けた付与済み特許の維持及び当該特許に対する特許出願について、ライセンサーと協議するのが当社の方針です。但し、通常各ライセンサーは、登録特許の維持に関して主要な管理責任を担っております。各ライセンサーによる当社のための資金の投入額又は投入のタイミングについては、当社の支配権は、仮に存在したとしても限られたものです。こうした支配権の欠如のために、当社がライセンスを受けた特許の維持、及び当社がライセンスを受けた特許の出願からの特許の追加付与を、当社は保証することはできません。米国において登録済特許の有効性を継続するためには、維持費の支払が義務付けられています。当社は通常、当社のライセンサーにこの支払を依存しており、ライセンサーがその支払を怠った場合には、特許を適時に維持しなかったとして、特許の失権という結果になる可能性があります。米国以外の国の特許庁の多くも、特許及び特許出願の維持のために、定期的な費用の支払を義務付けています。当社は通常、この費用の支払についても支配権を有しておらず、当社のライセンサーが適時にかかる費用を支払うこと、また、付与済み特許が放棄されないことを約束することはできません。例えば、実際に当社のMN-002（MN-001（タイペルカスト）の代謝産物）に基づきライセンスされた外国特許に関して、一部の費用が適時に支払われなかったということがあったため、その地域における当社の特許が損なわれたおそれがあります。さらに、当社のライセンサーは、外国特許の保護については一定程度の選択を行ったと考えられ、従って、商取引上重要と思われるすべての国において特許申請が行われているわけではなく、外国特許がすべての国において完了されたわけではない可能性があります。

当社の製品候補及び技術の特許保護には、法律上及び事実上の複雑な問題が絡んできます。当社のライセンス導入契約の大部分は当社に特許権を実施する権利を与えるものであり、義務を課すものではありません。当社のライセンサーにとって当社の特許権の実施に協力することが必要又は有益である範囲でしか、各ライセンサーからの当社のための資金の投入の額若しくはタイミングについて、又は当社による特許権の実施について彼らが設ける優先度について、当社はコントロールできません。当社は、発見が困難な、第三者による当社の知的財産権の侵害、とりわけ製造方法についての特許権の侵害については、知的財産権を保護できない可能性があります。また、当社の知的財産権保有、知的財産権実施能力又はその基礎となるライセンスに対して、異議申立てが行われる可能性があり、これらは時として米国以外の法律に基づいて行われてきましたが、この場合には米国法による保護とは異なる保護をもたらす可能性もあります。

当社又は当社のライセンサーが有する当社製品候補及び技術に関連するいずれの特許又は特許出願についても、競合製品から十分に当社製品候補を保護できるという確証はありません。当社の成功は、当社又は当社へのライセンサーが下記事項を達成できるか否かに一部依存しております。

- ・ 当社の製品候補を保護するための特許の取得及び維持
- ・ 第三者の技術を使用するために必須の又は望ましいライセンス（特許によって保護されている可能性のあるもの）の取得及び維持
- ・ 当社の営業秘密及びノウハウの保護
- ・ 第三者の知的財産権及び財産権を侵害しない事業運営
- ・ 当社が権利を保有する登録済特許の実施
- ・ 特許性のある新たな専有技術開発

当社の財産権に関して将来得られる保護の程度は不明であります。例えば、以下の可能性が存在します。

- ・ 当社の出願中の特許又は登録済特許の対象となる発明に関して、当社又は当社のライセンサーが最初の発明者でない可能性
- ・ これらの発明に関して当社又は当社のライセンサーが最初の特許出願者でない可能性
- ・ 第三者が独自に当社技術のいずれかに類似する若しくは代替的な技術を開発する可能性又は当社技術のいずれかを複製する可能性
- ・ 当社に出願中の特許がいずれも特許の付与に至らない可能性
- ・ 当社が権利を有する特許では、商業的に実現可能な製品の独占的市場を維持するための基盤を築くことができない可能性、当該特許では、当社に競争上の優位性をもたらすことができない可能性、又は当該特許につき、米国法若しくは米国以外の法に基づいて第三者から無効、侵害がない若しくは実施不可能であるとの異議を申し立てられるという可能性
- ・ 当社が権利を有するいずれかの登録済特許が、米国内外の特許法の展開において、有効若しくは実施可能ではない可能性、又はその保護の回避に成功される可能性

2. *米国およびその他の法域における特許法の変更により、特許全般の価値が低下し、その結果、当社の製品候補を保護する能力が損なわれる可能性があります。*

他のバイオ医薬品企業の場合と同様、当社の成功は知的財産、特に特許に大きく依存しています。バイオ医薬品業界における特許の取得と施行には技術的および法的な複雑な作業が伴うため、費用と時間がかかり、本質的に不確実性が伴います。米国における特許法または特許法の解釈が変更されると、不確実性とコストが増大する可能性があります。2011年9月16日に署名されたリーヒー・スミス米国発明法（リーヒー・スミス法）を含む、米国およびその他の国における最近の特許改革法案により、当社の特許出願の手続き及び取得済み特許の行使または防衛を巡る不確実性とコストが増加する可能性があります。リーヒー・スミス法には、米国特許法に対する多くの重要な変更が含まれています。これらには、特許出願の審査方法に影響を与え、従来技術を再定義し、競合他社が特許の有効性に異議を唱えるためのより効率的で費用対効果の高い手段を提供する規定が含まれています。これらには、特許審査中に第三者による米国特許商標庁（USPTO）への先行技術の提出を許可することや、USPTOが管理する特許付与後の手続き（付与後審査、当事者間審査を含む）により特許の有効性を示すための追加手続きが含まれます。2013年3月以降、リーヒー・スミス法に基づき、米国は先発明者出願制度に移行しました。この制度では、他の法定要件が満たされていることを前提として、最初に特許出願をした発明者が発明に関する特許を取得する権利が与えられます。特許出願した発明が最初に発明したのが第三者であるかどうかは関係ありません。しかし、リーヒー・スミス法とその施行は、当社の特許出願の手続きおよび取得した特許の施行または弁護を巡る不確実性とコストを増加させる可能性があり、そのすべてが当社の事業、財務状況、業績に重大な悪影響を与える可能性があります。

米国最高裁判所は近年、特定の状況下で利用可能な特許保護の範囲を狭める、または特定の状況下で特許所有者の権利を弱めるといういくつかの特許訴訟について判決を下しています。米国議会、米国裁判所、USPTO、および他国の関連立法機関による今後の行動次第では、特許を管理する法律や規制が予期せぬ形で変更され、新しい特許を取得したり特許を施行したりする当社の能力が弱まる可能性があります。

米国連邦政府は、バイ・ドール法に基づく財政援助によって生み出された発明について一定の権利を保持しています。連邦政府は、独自の利益のために、非独占的、譲渡不可、取消不能な支払い済みのライセンスを保持します。バイ・ドール法はまた、連邦機関に「マーチン権」を与えています。マーチン権により、政府は、特定の状況において、契約者または特許権の継承者に対し、責任のある出願人に非独占的、部分的独占的、または排他的ライセンスを付与するよう要求することができます。特許所有者がこれを拒否した場合、政府は自らライセンスを付与することができます。将来、当社が、バイ・ドール法の対象となる連邦資金の全部または一部を利用して開発された当社の事業にとって重要な技術を共同所有またはライセンス供与する場合、そのような技術を対象とする特許を施行または活用する当社の能力に悪影響を与える可能性があります。

さらに、2023年6月に欧州で施行された新しい単一特許制度は、欧州特許法の複雑さと不確実性を増大させており、そのような制度の導入前に付与されたものも含め、欧州特許に大きな影響を与える可能性があります。単一特許制度の下では、欧州出願は特許付与時に単一特許となり、統一裁判所 (UPC) の管轄下に置かれるという選択肢を持ちます。UPCは新しい裁判所制度であるため、前例がなく、訴訟の不確実性が増大しています。UPCの施行前に付与された特許には、UPCの管轄権をオプトアウトしてUPC加盟国の国内特許として存続するという選択肢があります。UPCの管轄下に残る特許は、UPCベースの1件の取消し訴訟に対して潜在的に脆弱になる可能性があります。これが成功した場合、UPCに加盟しているすべての国で特許が無効になる可能性があります。当社はこのような変化が長期的にどのような影響を及ぼすか確実に予測することはできません。

3. 従業員その他との間で締結されている秘密保持契約が、当社の持つ営業秘密その他専有情報の漏洩を適切に防ぐことができない、又は当社の知的財産権を適切に保護することができないおそれがあります。当社が適切に当社の財産権を保護できなければ、当社の競争力が低下する可能性があります。

当社は低分子化合物という高度に技術的な研究開発分野で事業を展開していることから、専有する営業秘密及び特許を受けていないノウハウを保護するため、営業秘密の保護に一部依存しております。しかし、営業秘密の保護は困難で、第三者が独自に同様又は類似する技術を開発しないという確証はありません。当社は、当社の営業秘密及び特許を受けていないノウハウを保護するために、当社の従業員、コンサルタント、社外の科学研究協力者、当社が後援する研究者及びその他顧問との間で秘密保持契約を締結することを含め対策を講じております。通常の場合、この秘密保持契約は、契約当事者に対し、当社と取引等の関係がある間に当社が開示したすべての秘密情報及び当該当事者が開発したすべての秘密情報に関して、機密を保持し第三者に情報を開示しないことを義務付けています。また、当社は通常、当社に対する業務を提供する過程で当該当事者によって考案された発明は、当社の独占的な財産となる旨当該当事者から合意を得ております。しかし、これらの契約が遵守されず、知的財産権が当社に有効に譲渡されない可能性があります。さらに、当社のライセンサーにより醸成された営業秘密の保護について、当社の支配権は、仮に存在するとしても限定的なものとなります。当社の営業秘密又はノウハウを不法入手し使用している当事者に対し、請求権を執行することは困難であるとともに、費用及び時間を費やすものであり、結果の予測は不可能です。さらに、米国以外の国の裁判所は、営業秘密又はノウハウの保護について米国の裁判所より積極的でない可能性があります。営業秘密保護の取得又は保持ができない場合、当社の競争力に悪影響を及ぼすおそれがあります。

4. 当社又は第三者の財産権の侵害又は不正利用に関する紛争は、多大な時間及び費用を費やすことがあり、不利な結果となれば当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

当業界には、特許及びその他知的財産権に関する重大な訴訟が存在します。現在、当社が当事者となっている係属中の知的財産訴訟は一切なく、そのような訴訟のおそれについても既知ではありませんが、将来、当社の製品候補、その用途、製造方法又はその他技術若しくは活動が第三者の知的財産権を侵害しているという請求に基づいて、第三者から訴訟を提起される可能性は存在します。また、化合物及びその用途に関連する特許は多数存在します。当社の化合物、その用途又は製造方法がこのような特許を侵害していると認定された場合、当社は、多額の損害賠償を支払わなければならない又は特許権の許諾を受けるよう努めなければならない可能性があります。当社は、当社の製品候補に関して第三者に付与された有効期限内の特許について、包括的な調査は実施しておりません。従って、当社の製品候補又はその用途若しくは製造方法についての請求を含む第三者の有効期限内の特許が存在しないと保証することはできません。さらに、米国における特許出願の一部は、特許が付与されるまで秘密裏に行われるため、並びに米国及び諸外国の多くの法域における特許出願は通常申請から18カ月間は特許出願が公開されないため、現在又は将来

の当社の製品候補に関連し、当社の一つ又は複数の製品候補の開発及び商品化に重大な影響を及ぼしうる登録済特許に至る可能性のある特許出願を、第三者が行っていないという確証はありません。明白に権利を侵害された特許権保有者は、告発された (accused) 侵害者に対し、侵害に係る製品の輸入、製造、マーケティング、流通、使用又は販売を禁じるために民事訴訟を起こすことができます。当社は、当社の知的財産権を実現するため、又は第三者の財産権の範囲、有効性及び執行可能性につき宣言的判決を求めべく訴訟手段を用いる必要が生じることもあります。同様に、当社が不適切に第三者の営業秘密又はその他の専有する情報を使用又は開示したとする旨の請求の対象となる可能性があります。当社が訴訟に巻き込まれた場合、勝訴又は敗訴するかを問わず、当社の経営上及び財政上の資源の大部分を費やす可能性があります。当社の競合企業の一部は、当社より大幅に多くの資源を有しているために、複雑な知的財産訴訟の費用を当社よりも効率的に拠出できる可能性があります。当社は、訴訟費用を支払えない可能性があります。当社又は当社の提携業者に対する法的行為により、以下の事由が起こるおそれがあります。

- ・ 当社に法的責任があるとされた違反行為が故意によるものとみなされ、かつ当社に対する裁判が裁判官により異例と認められた場合、損害賠償、ライセンス使用料、利益損失額、潜在する拡大損害及び弁護士費用を支払わなければならないおそれ
- ・ 当社の製品をその後も開発、商品化及び販売する能力を事実上阻むような、差止め又はその他衡平法上の救済措置を招くおそれ
- ・ 当社又は当社の提携業者との間で、正当な又は商取引上合理的な条件でライセンス契約を締結できないおそれ
- ・ 多大な費用が発生し、当社の経営陣にとって業務の妨げとなるおそれ

この結果、既存又は将来の製品候補の開発又は商品化が妨げられる可能性があります。

5. 当社は、当社の従業員が前雇用主の営業秘密を濫用又は開示したとの申し立てを受けることがあります。

バイオテクノロジー又は医薬品の業界によく見られるように、当社は、競合企業又は潜在的競合企業を含む他のバイオテクノロジー企業又は医薬品企業に以前勤めていた者を雇うことがあります。前雇用主の営業秘密やその他の機密情報を、当社の従業員又は当社が過失その他により使用、開示したことを理由に、申し立てを受けることはあり得ます。訴訟において、こうした申し立てに対して抗弁を行う必要があるかもしれません。訴訟に勝訴したとしても、訴訟には多大な費用がかかり、経営の妨げになるおそれがあります。

当社の普通株式への投資及び証券市場に関連するリスク

1. 当社の普通株式の株価は、当社の業績にかかわらず変動し又は下落する可能性があるため、売却により利益を確保できない可能性があります、また売却不可能な場合もあり得ます。

当社は、Nasdaqグローバル市場と東京証券取引所スタンダード市場の2市場に普通株式の上場しておりますが、その取引量は少なく、当社普通株式につき活発な証券市場取引は展開されない可能性があります。2023年における一日の平均株式取引数は、Nasdaqグローバル市場において約100,325株、東京証券取引所スタンダード市場において約44,278株でした。

バイオ医薬品企業やバイオテクノロジー企業、及び当社のような初期段階の創薬・医薬品開発企業の株式の取引価格は、沿革的に非常に不安定であり、将来もその状態が続くと思われまます。例えば、2005年2月8日の日本における当社の新規株式公開日以降2023年12月31日までの間、当社の普通株式は、1株あたり高値では42米ドル、底値では1.30米ドルで取引されています。このセクションの他の箇所に記載された他のリスク要因以外にも、以下の要素が当社の株価に重大な影響を与えるものには以下の要素が考えられますが、その多くは当社の支配が及ぶものではありません。

- ・ 臨床治験の結果、当社の製品候補に関する規制当局の決定事項など、当社の製品候補開発の状態
- ・ 提携協定の締結・解約・範囲の縮小及びこうした提携に関する紛争や進展
- ・ 当社の製品候補の薬事承認の取得失敗など、FDA又は米国外の規制当局関係の事項
- ・ 当社又は競合企業の技術革新、新製品又は重大なイベントに関するニュースのリリース
- ・ 当社の知的財産権に関する紛争や進展

- ・ 医薬品又はバイオテクノロジー業界の市場状況
- ・ 四半期又は年度の経営成績の実績及び予想値の変動
- ・ 株式市場全体における価格及び取引量の変動
- ・ 当社の財務実績に関する証券アナリスト又は投資家の予想の変化、さらにその予想に合致しないこと
- ・ 主要従業員の参加又は離職
- ・ 経済全体及び業界の市況（COVID-19に起因する状況を含みます。）
- ・ 経済紙や科学紙、又はインターネット上の投資家コミュニティによる、当社の事業、経営、製品、財務実績、将来性及び株価等に関する議論
- ・ 当社の製品候補の安全性に関わる訴訟及び社会的関心
- ・ 処方薬の価格設定や入手可能性、医薬品の安全性及び投薬技術についての社会的関心及び法的措置
- ・ 米国及びその他の国々における規制の進展

経済的要素、政治的要素に加え、当社の属する市場や産業に内在する広範な要素もまた、当社の株価に深刻な悪影響を及ぼす可能性があります。

2. 当社の普通株式は、*Nasdaq*グローバル市場又は東京証券取引所スタンダード市場への上場を廃止される可能性があります。

上記のリスクに加え、当社の普通株式の市場価格、及び当社株主が保有株式の売却により利益を確保できる可能性又はそもそも保有株式を売却できる可能性は、適用ある上場基準を満たさなかったことによる当社の株式の上場廃止により影響を受けるおそれがあります。例えば、*Nasdaq*グローバル市場では最低株式取引価格が定められており、当社の株価は過去にかかる最低要件を下回りました。当社の普通株式が上場されているいずれかの証券取引所のこれらの又は他の上場基準を満たすことができなかった場合、当社の普通株式の市場価格、及び当社株主が保有株式の売却により利益を確保できる可能性又はそもそも保有株式を売却できる可能性に悪影響を与えるおそれがあります。

3. 当社の既存の発行登録書および新株発行枠を利用した既存の販売代理契約に基づくものを含む普通株式の追加売却が、既存株主の保有する株式を相当程度希薄化するおそれがあります。

当社の普通株式を大量に売却した場合、当社の株価が下落する可能性があります。当社の普通株式の相当数の売却は、いつでも発生する可能性があります。かかる売却、又は株式を大量に保有する株主が売却を企図しているという市場での認識は、当社の普通株式の市場価格を引き下げる可能性があります。2024年2月12日の現在、当社の発行済普通株式数は49,046,246株でした。取締役、執行役員、及びその他の関係者が保有する株式は、証券法に基づく規則144及び様々な権利確定契約に基づく数量制限の対象となります。

さらに、当社は、当社の株式報酬制度に基づき発行することができるすべての普通株式を登録しており、今後も引き続き登録する予定です。当社がかかる株式を登録すると、関係者に適用される数量制限を条件として、発行時に公開市場で自由に売却することができます。当社は、公開市場での当社株式の売却又は売却可能な株式の有無が当社の普通株式の市場価格に与える影響について予測することができません。しかしながら、発行済みのワラント又はオプションの行使により発行される株式を含む、将来の公開市場での当社の普通株式の相当数の売却、又はかかる売却が行われるとの認識は、当社の普通株式の市場価格に悪影響を及ぼす可能性があります。また、今後、計画した事業を継続するために、将来的に多額の追加資本が必要になる可能性もあります。

当社は、2022年8月26日付けで、様式S-3による発行登録者（「本発行登録書」）をSECに提出しました（2022年9月6日付けで、SECにより発効が宣言されました。）。これにより当社は、1回又は複数回の募集において、また任意の組合せにおいて、最大200.0百万米ドルの当社の普通株式、優先株式、負債証券及びワラントの募集を行うことが可能となりました。本発行登録書は、当社が将来一般的な企業目的のために資金を調達する際の柔軟性を提供することを意図しています。かかる本発行登録書の一部として、当社はまた、B. Riley Securities, Inc. (旧B. Riley FBR, Inc.)（「B. Riley Securities」）との間で、新株発行枠を利用した販売代理契約の変更契約（「ATM契約」その後の改正を含みます。）を締結しました。当社は、同契約に基づき、B. Riley Securitiesを通じて発行価格総額75.0百万米ドルを上限とする当社普通株式を随時募集及び売却することができます。そのうちの10.3百万米ドルの当社普通株式は、2022年8月22日に失効した、様式S-3による以前の発行登録書（「以前の発行登録書」）に基づき売却されました。ATM

契約に関連して、また本発行登録書の一部として、当社は、64.7百万米ドルを上限とする当社普通株式を登録するための目論見書の追補書類を提出しました。これは、売買契約及び以前の発行登録書に基づき当社が従前に登録した残りの株式に相当します。当社は、本発行登録書又はATM契約に基づき、当社普通株式を追加で随時売却することができます。その時の市場の流動性によりますが、本発行登録書又はATM契約による当社の普通株式の売却が、当社の普通株式の取引価格を下落させ、既存株主が保有する株式の希薄化を招くおそれがあります。本発行登録書又はATM契約に基づくものを含む、相当数の当社普通株式の売却又は売却予想は、将来、当社が望む価格やタイミングにおいて当社の株式及び株式関連有価証券を売却することを困難にするおそれがあります。

4. 当社は証券保有者から集合代表訴訟を起こされる可能性があります。その場合、事業そのものに対する経営陣の関心が薄れ、事業に悪影響を及ぼすことが考えられます。

過去何度も、株式市場における株価又は取引量の変動が、バイオテクノロジー企業又はバイオ医薬品企業の普通株式価格に影響を与えてきました。全般的な市場の不安定さが、当社の普通株式の株価を引き下げることがあります。今までも、有価証券の市場価格の低下に続いて株主による集合代表訴訟が起こされることがしばしばありました。過去のバイオテクノロジー企業及びバイオ医薬品企業の株価の変動は、こと当社にもこうした訴訟の著しい危険性が存することを示しております。将来当社はこの集合代表訴訟を提訴される可能性があります。訴訟には通常多大な費用がかかり、経営陣の注意や会社の資源の分散を余儀なくさせるため、当社の事業に悪影響を与えることがあります。

5. 将来起こりうる当社の普通株式の売却によって、当社の株価が下落する可能性があり、当社が追加資本を調達し、又は株主が株式を売却することが困難になるおそれがあります。

当社の普通株式の大量の売却、又は普通株式が売却可能となることが、当社の普通株式の市場流通価格に悪影響を及ぼすことが考えられます。もしこのようなことが起こり、その状況が継続する場合には、当社が望んでも、証券の売却によって追加資本を得ることが困難になるおそれがあります。さらに、当社の普通株式の買い手を探すことも難しくなる、又は不可能になるおそれがあります。

当社は、従業員株式購入プラン (employee benefits plans) のもとで発行可能な全普通株式についてすでに発行登録を行っております。従って、かかる株式は、付与及び制限について証券法制に準拠した契約上の条件に従うことを条件として、発行と同時に公開市場で売却可能となります。さらに、当社の取締役及び執行役は、将来、普通株式の売却を効果的に行うために、証券取引所法ルール10b5-1に基づいた売却プランプログラム (programmed selling plans) を構築する可能性があります。かかる事情により、公開市場で大量の当社株式が売却された場合、当社の普通株式の取引価格の低下を引き起こし、当社の資金調達能力が損なわれる可能性があります。

6. 当社の重要な会計に関する業績の見積もりや判断が、前提条件の変更や誤りであることが判明した場合、当社の業績が証券アナリストや投資家の期待を下回り、その結果、市場の下落を招く可能性があります。

米国会計基準で一般に公正妥当と認められる会計原則 (米国会計基準) に準拠した財務諸表を作成するためには、経営者は財務諸表および付属注記の報告金額に影響を与える見積もりおよび仮定を行う必要があります。当社は、過去の経験や見積り、およびその状況下で合理的であると考えられるその他の様々な仮定に基づいて見積りを行っており、資産、負債、資本、収益および費用の帳簿価額に関する判断の基礎となるものであり、他の情報源からは容易に明らかにならない判断の結果です。例えば、2023年12月31日現在、当社はのれんおよび耐用年数が確定できない無形資産の定性的減損評価を実施しました。この評価には、業界、市場、マクロ経済状況の変化の評価、当社の業績および重要な傾向の検討が含まれています。当社の株価が持続的に下落した場合、または単一の報告単位の公正価値の決定に影響を与える重要な前提条件に重大な変更があった場合、将来期間においてのれんおよび/または無形資産の減損費用が発生する可能性があり、そのような費用は巨額になる可能性があります。

当社の重要な会計方針に関する当社の見積りおよび判断の基礎となる前提が変更された場合、または実際の状況が当社の仮定、見積りもしくは判断と異なる場合、当社の業績が悪影響を受ける可能性があり、証券アナリストや投資家の期待を下回る可能性があります。その結果、当社の普通株式の市場価格が下落する可能性があります。

7. 当社は「小規模な公開会社」であるため、利用可能な特定の規模の開示を利用する場合があります。小規模な公開

会社に適用される報告要件の緩和により、当社の普通株式が投資家にとって魅力的でなくなるかどうかはわかりません。

当社は証券取引法に定義される「小規模な公開会社」です。小規模な公開会社として、当社は、定期報告書および委任勧誘状における役員報酬に関する開示義務を含め、小規模な公開会社ではない他の公開会社と比較して、SECへの提出書類において大規模な開示義務を行わなくてよいことが認められています。当社は小規模な公開会社が利用できる便宜措置を採用することを選択しました。当社が小規模な公開会社でなくなるまでは、当社のSEC提出書類における情報開示の規模が縮小されるため、小規模な公開会社ではない他の公開会社よりも当社に関する情報が少なくなります。

当社は、当社の議決権付き普通株式および非関連会社が保有す議決権付き及び議決権無しの普通株式が当社の第2会計四半期の最終営業日に測定して2億5,000万ドル未満であり、または(ii)当社の直近に終了した会計年度の年間収益は1億ドル未満であり、かつ、当社の第2会計四半期の最終営業日に測定された当社の関連会社以外が保有する議決権付き及び無議決権普通株式の市場価値が7億ドル未満である限り、当社はこの拡大開示を利用することができません。

当社は小規模な公開会社が利用できる特定の規模の開示に依存しているため、投資家が当社の普通株式の魅力あまり感じないかどうかを予測することはできません。その結果、一部の投資家が当社の普通株式に魅力を感じなくなった場合、当社の普通株式の取引市場が活発でなくなり、当社の株価がより不安定になる可能性があります。

8. 当社の設立書類及びデラウェア州法に基づく企業買収防止規定の存在は、当社の買収をより複雑にし、当社の取締役及び経営陣の解任及び交代をより困難にする可能性があります。

当社の再表示基本定款及び改訂附属定款には、支配権の変更を遅らせ若しくは妨げ、当社の普通株式の市場価格を超えるプレミアム価格での入札を妨げ、又は当社普通株式の市場価格及び普通株式保有者の議決権その他の権利に悪影響を及ぼす可能性のある規定が組み込まれております。これらの規定は、株主が当社の取締役及び経営陣の解任及び交代を行うことを困難にしております。これらの規定は以下の内容を定めております。

- ・ 当社の取締役会のメンバーの解任は、当社株式資本の過半数を保有する株主の賛成投票によってのみ認められること
- ・ 発行済株式総数を増やすことにより買収を阻止し又は遅らせることを目的として、取締役会に「白紙委任」優先株式の裁量的発行を認めていること
- ・ 臨時株主総会を招集できる者が制限されていること
- ・ 取締役候補者の指名又は株主総会の議案事項の提案について、事前通知の要件が定められていること
- ・ 株主の3分の2の承認がない限り、当社株主が再表示基本定款又は改訂附属定款に一定の修正を加えることを禁じていること
- ・ 取締役のクラスを分け、任期満了の時期をずらしていること

また、当社は、保有者による当社株式の取得につき当社取締役会の事前承認を得た場合を除いて、一般に当社普通株式の15%以上を保有する実質株主との企業結合を3年間禁止する、デラウェア州会社法の規定に制約される可能性があります。当社は、これらの規定は、潜在的購入者に対し当社取締役会との交渉を義務付けることによって、より高い対価の提供を受ける機会を当社に与えるものであると考えておりますが、買収提案が一部の株主により有益であるとみなされ得る場合にも、これらの規定が適用されます。いずれの場合にも、これらの規定が、第三者による当社の買収を遅らせ又は阻止する可能性があります。かかる遅延又は阻止によって、当社普通株式の市場価格が下落するおそれがあります。

2. 企業集団の状況

(1) 親会社

当社には親会社はありません。

(2) 子会社

本報告書提出日現在の当社の子会社に関する情報は以下のとおりです。

名称	住所	資本金	主要な事業の内容	議決権の所有割合
メディシノバ・リミテッド (ヨーロッパ) (MediciNova (Europe) Limited) (注)	英国ロンドン市	5,000米ドル (737,750円)	欧州 (EU) における 臨床開発	100%
メディシノバ製薬株式会社 (注)	東京都港区	10,000,000円	日本及びアジアに おける事業展開、 IR・PR活動	100%
アヴィジェン・インク	米国カリフォルニア州	29,836米ドル (4,402,302円)	バイオ医薬品企業	100%
メディシノバ・ヨーロッパ・ゲーエムベーハー (MediciNova Europe GmbH) (注)	ドイツミュンヘン市	25,000ユーロ (3,999,250円)	欧州 (EU) における 臨床開発	100%

(注) いずれも当社の特定子会社に該当します。

3. 経営方針

(1) 会社の経営基本方針

当社はまだ十分な治療法が確立されていない様々な疾患及び病態に対する新規医療用医薬品の導入、開発、米国での販売に特化するグローバルな製薬企業を目指しております。これらの製品候補は、前臨床試験後期又は臨床開発初期にあり、広範な安全性及び有効性に関するデータを有していること、市場性が大きく、よりよい治療をもたらす可能性が高いこと、さらに適切な範囲の特許権に保護されていることを満たしていることを、ライセンス導入の際の基本方針としております。現在のところ、当社は、中枢神経系疾患や炎症性疾患を適応とするMN-166（イブジラスト）、線維症疾患および高脂血症などを適応とするMN-001（タイペルカスト）の開発に経営資源を集中しています。

(2) 目標とする経営指標

平成25年12月期決算短信（2014年3月28日開示）により開示を行った内容から重要な変更がないため開示を省略します。

当該決算短信は、次のURLからご覧いただくことができます。

<https://medicinova.jp/wp-content/uploads/2017/10/MediciNova20134QTanshin.pdf>

(3) 対処すべき課題と中長期的な会社の経営戦略

当社のゴールは、まだニーズが満たされていない深刻な疾患治療のための様々な医薬品を開発することによって、持続可能なバイオ医薬品事業を展開することです。そのためには、以下の戦略が鍵となっています。

- ・主として、希薄化を伴わない資金調達によって、多様な適応に対するMN-166の開発を目指すこと。

当社は、MN-166の多様なプログラムを、治験責任医師が出資する臨床治験、政府機関、民間組織又は公的機関の助成金を受けた臨床治験などを組み合わせて進めていく予定です。ただし、治験薬の供給と安全性に関する薬事関連のサポートを行うことに加え、当社はコンソーシアムからの資金供与による臨床治験にも一定の割合の資金を負担する場合があります。たとえば、当社は、一次進行型及び二次進行型の多発性硬化症を適応とするMN-166のフェーズ2プログラムであるNeuroNEXT治験（もともとはNIHの助成金により実施）に対する資金拠出を行いました。また、ALS患者を登録して行われた臨床治験への資金拠出を行いました。当社はMN-166の臨床開発に関して、さらに戦略的提携先を模索していきます。

- ・線維症疾患および高脂血症などを適応としてMN-001を開発していくこと。

当社はMN-001について、当社の資金負担による開発のみならず、助成金を受けて治験責任医師主導で行う開発や、助成金はないが治験責任医師が行うものなど、様々な開発形態を組み合わせて進展させていく予定です。

- ・1社以上の主要医薬品企業と戦略的提携を締結し、製品開発及び商品化を実現すること。

当社は、医薬品治療分野のリーダーとの関係を構築、維持していきます。MN-166、MN-001、MN-221、MN-029などのような製品候補を探している主要な医薬品企業と、人での安全性と有効性の確認・検証を行うフェーズ2臨床治験の完了後直ちに、戦略的提携関係を築く準備があります。

4. 連結財務書類

(1) 連結貸借対照表

	当連結会計年度 (2023年12月31日)	前連結会計年度 (2022年12月31日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
(資産)		
流動資産		
現金及び現金同等物 (※1)	50,999,442	18,505,493
前払費用及びその他の流動資産	174,938	499,403
投資 (※2)	–	39,982,213
流動資産合計	51,174,380	58,987,109
のれん	9,600,240	9,600,240
仕掛研究開発費 (IPR&D)	4,800,000	4,800,000
有形固定資産 (純額) (※3)	45,800	45,269
使用権資産	575,406	629,495
その他の非流動資産	74,151	92,792
資産合計	66,269,977	74,154,905
(負債及び株主資本)		
流動負債		
買掛債務	1,003,937	424,646
未払債務及びその他の流動負債 (※4)	2,059,238	2,605,308
オペレーティング・リース負債	215,926	157,505
流動負債合計	3,279,101	3,187,459
繰延税金負債	201,792	201,792
その他の非流動負債	410,660	523,619
負債合計	3,891,553	3,912,870
契約債務及び偶発債務		
株主資本		
普通株式 額面0.001米ドル	49,046	49,046
(授權株式数)	(100,000,000株)	(100,000,000株)
(発行済株式数)	(49,046,246株)	(49,046,246株)
払込剰余金	478,149,161	477,438,451
その他の包括損失累計額	△ 118,090	△ 115,285
累積欠損	△ 415,701,693	△ 407,130,177
株主資本合計	62,378,424	70,242,035
負債及び株主資本合計	66,269,977	74,154,905

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(2) 連結損益及び包括利益計算書

	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
営業収益	1,000,000	—
営業費用		
研究開発及びパテント費	5,657,895	9,143,792
一般管理費	5,242,370	5,484,857
営業費用合計	10,900,265	14,628,649
営業損失	△ 9,900,265	△ 14,628,649
受取利息	1,834,665	809,673
その他の費用 (純額)	△ 502,869	△ 247,285
税引前当期純損失	△ 8,568,469	△ 14,066,261
法人所得税等	△ 3,047	△ 2,822
当期純損失	△ 8,571,516	△ 14,069,083
当期純損失	△ 8,571,516	△ 14,069,083
基本及び希薄化後 1 株当たり当期純損失	△ 0.17	△ 0.29
基本及び希薄化後 1 株当たり当期純損失の計算に使用 した株式数	49,046,246株	49,045,342株
当期純損失	△ 8,571,516	△ 14,069,083
その他の包括損失 (税引後) 為替換算調整勘定	△ 2,805	△ 16,408
包括損失	△ 8,574,321	△ 14,085,491

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(3) 連結株主資本等変動計算書

	普通株式		払込剰余金 金額 (米ドル)	その他の包括 損失累計額 金額 (米ドル)	累積欠損 金額 (米ドル)	株主資本合計 金額 (米ドル)
	株式数 (株)	金額 (米ドル)				
2021年12月31日現在残高	49,043,246	49,043	476,788,012	△ 98,877	△ 393,061,094	83,677,084
株式に基づく報酬費用	-	-	642,522	-	-	642,522
オプション行使による普通株式発行	3,000	3	7,917	-	-	7,920
当期純損失	-	-	-	-	△ 14,069,083	△ 14,069,083
為替換算調整勘定	-	-	-	△ 16,408	-	△ 16,408
2022年12月31日現在残高	49,046,246	49,046	477,438,451	△ 115,285	△ 407,130,177	70,242,035

	普通株式		払込剰余金 金額 (米ドル)	その他の包括 損失累計額 金額 (米ドル)	累積欠損 金額 (米ドル)	株主資本合計 金額 (米ドル)
	株式数 (株)	金額 (米ドル)				
2022年12月31日現在残高	49,046,246	49,046	477,438,451	△ 115,285	△ 407,130,177	70,242,035
株式に基づく報酬費用	-	-	710,710	-	-	710,710
当期純損失	-	-	-	-	△ 8,571,516	△ 8,571,516
為替換算調整勘定	-	-	-	△ 2,805	-	△ 2,805
2023年12月31日現在残高	49,046,246	49,046	478,149,161	△ 118,090	△ 415,701,693	62,378,424

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

	当連結会計年度 (自 2023 年 1 月 1 日 至 2023 年 12 月 31 日)	前連結会計年度 (自 2022 年 1 月 1 日 至 2022 年 12 月 31 日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
営業活動：		
当期純損失	△ 8,571,516	△ 14,069,083
当期純損失から営業活動により生成された（使用された）現金（純額）への調整：		
非現金の株式に基づく報酬費用	710,710	642,522
減価償却費及び償却費	20,295	17,707
投資に係る未収利息	△ 346,390	△ 154,003
投資の解約費用	448,903	122,475
有形固定資産の処分損	472	—
使用権資産の帳簿価額の減少	194,502	194,719
営業資産及び負債の変動：		
前払費用及びその他の資産	287,628	150,605
買掛債務、未払債務及びその他の負債	19,238	329,010
オペレーティング・リース負債	△ 194,880	△ 145,515
営業活動によるキャッシュ・フロー（純額）	△ 7,431,038	△ 12,911,563
投資活動：		
投資による支出	—	△ 59,877,526
投資の解約による収入	39,929,015	19,877,526
有形固定資産の取得	△ 21,299	△ 5,010
投資活動によるキャッシュ・フロー（純額）	39,907,716	△ 40,005,010
財務活動：		
普通株式の発行及びストック・オプションの行使による収入	—	7,920
財務活動によるキャッシュ・フロー（純額）	—	7,920
現金及び現金同等物に係る換算差額	17,271	△ 16,808
現金及び現金同等物の増減額	32,493,949	△ 52,925,461
現金及び現金同等物の期首残高	18,505,493	71,430,954
現金及び現金同等物の期末残高	50,999,442	18,505,493
キャッシュ・フローに係る追記情報：		
オペレーティング・リース負債と引き換えに取得した使用権資産	139,001	—
法人税等支払額	3,667	—

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(5) 継続企業の前提に関する注記

該当事項はありません。

(6) 連結財務書類作成のための基本となる重要な事項

1. 会計処理基準に関する事項

この連結財務書類は、主に当社が米国証券取引委員会に提出する2023年度の開示書類（Form 10-K）に含まれる連結財務書類をもとに作成しています。したがって、この連結財務書類は米国において一般に公正妥当と認められる会計原則（米国会計基準）に準拠して作成されており、日本において一般に公正妥当と認められる会計原則（日本会計基準）に準拠して作成された連結財務書類と比較して、会計原則、会計慣行及び表示方法が異なります。この連結財務書類に含まれる連結貸借対照表、連結損益及び包括利益計算書、連結株主資本等変動計算書、及び連結キャッシュ・フロー計算書については、米国で作成した連結財務書類を翻訳したものでありますが、日本の読者にわかりやすいように、注記事項については日本の連結財務書類の開示制度を勘案して、一部事項の加除・並べ替え等を行っています。また参考資料として、円換算した連結財務書類を「補足資料」として添付しております。

2. 連結の原則に関する事項

当連結財務書類は、メディシノバ・インク及びその完全所有子会社であるメディシノバ製薬株式会社、メディシノバ・リミテッド（ヨーロッパ）、メディシノバ・ヨーロッパ・ゲーエムベーハー、及びアヴィジェン・インクの勘定を含んでおります。海外子会社の財務書類は、現地通貨を機能通貨として使用し測定しています。その結果生じる換算差額は、その他の包括利益又は損失の構成要素として計上されています。各事業年度における連結会社間の取引に係る損益は、為替換算調整勘定としてその他の包括利益又は損失に計上されています。すべての連結会社間取引及び子会社投資勘定は、連結に当たり相殺消去されています。

3. セグメント情報

当社は単一の事業セグメントにより運営されているため、セグメント別の記載は省略しております。

4. 会計処理基準に関する事項

(1) 収益の計上基準

収益は主として、顧客との契約に従って履行される研究開発に係る役務によって構成されてきました。当社は各契約において独立した履行義務を評価し、当該役務について見積った独立販売価格を考慮しつつ取引価格を各履行義務に配分し、このような義務が一定の期間にわたりもしくは一時点で充足された時点で、かつ次の要件のいずれかを満たした場合に、収益を計上しています。

- (1) 顧客が、供給業者の履行によって提供される経済的便益を、同時に受け取って消費する。
- (2) 供給業者が、顧客が支配する資産を創出するか又は増価させる。
- (3) 供給業者の履行が、供給業者が他に転用できる資産を創出しない。
- (4) 供給業者が現在までに完了した履行に対する支払を受ける強制可能な権利を有している。

(2) 仕掛研究開発、長期性資産、及びのれんの評価方法

仕掛中の研究開発（「IPR&D」）又は個別に取得したIPR&Dに関連して発生した金額は、発生時に費用計上されます。一方、企業結合に関連してIPR&Dに割り当てられた金額は、公正価値で測定の上、関連する研究開発の完了又は中止まで、耐用年数の確定できない無形資産として計上されます。主に製品の上市が規制当局により承認された時などをもって開発が完了すると、関連資産は耐用年数が有限の資産とみなされ、当該資産によってもたらされる経済的便益を最もよく反映する期間にわたって償却されます。資産が耐用年数の確定できない資産とみなされている間は、償却はされませんが、年次で減損のテストが行われ、もし減損の兆候が存在する場合には、より頻繁にテストが行われます。当社はまず、定量的評価を行う必要があるかどうかを判断するための基礎として、IPR&Dの公正価値がその帳簿価額を下回る確率が50%超か否かを判断するための定性的要因を評価しています。定性的要因を評価した後、IPR&Dの公正価値がその帳簿価額を下回る確率が50%を超えないと判断した場合、定量的評価は不要となります。これに対して定量的評価が必要と判断された場合、帳簿価額が公正価値を上回る額は減損損失として計上されます。なお定性的評価は、帳簿価額を決定する際に用いられた主要なインプット、仮定、及び論拠並びに最後に行われた定量的評価以降に当該資産に関連して起こった変動に焦点を当てて行われます。当社は年次定性評価の結果に基づいて、表示期間のいずれにおいてもIPR&Dが減損している確率が50%超ではないと結論付けました。

当社は、資産（又は資産グループ）の帳簿価額が回収できない可能性があることが何らかの事象又は状況の変化により示された場合には、長期性資産の減損について検討を行い、減損分析を実施します。長期性資産は、

資産（又は資産グループ）によって発生すると予想される割引前キャッシュ・フローが資産の帳簿価額を下回る場合に減損しているとみなされます。認識が必要な減損損失は、資産（又は資産グループ）の帳簿価額がその公正価値を超える金額として測定され、関連資産の帳簿価額の減少及び営業費用への計上として処理されます。当社の長期性資産について、表示期間のいずれにおいても、資産（又は資産グループ）の帳簿価額を回収できない可能性を示す事象又は状況の変化は見られませんでした。

のれんは、毎年一度（12月31日現在で）、又は減損の兆候が存在する場合にはより頻繁に、減損のレビューが行われます。当社は単一の事業セグメント及び報告単位で事業を行っているため、のれんは連結レベルで評価されます。当社はまず、定性的要因を評価して、報告単位の公正価値がのれんを含む帳簿価額を下回る確率が50%超か否かを判断します。もし50%超である場合には、報告単位の公正価値をその帳簿価額と比較する定量的評価に進みます。定性的又は定量的なテストのいずれかにおいて、公正価値が帳簿価額を上回った場合、のれんは減損しているとはみなされません。定性的要因としては、経済環境、経営環境、時価総額、営業成績、競争状況、及びその他の要因が挙げられます。当社は、評価に際して、資本の帳簿価格に対して市場時価がどれだけ超過余力があるかという点を最も重視しました。当社は、年次定性評価の結果に基づいて、表示期間のいずれにおいてものれんが減損している確率が50%超ではないと結論付けました。

(3) リース取引

当社は、契約の締結にあたり当該取引がリース取引であるかどうかを判断し、リース取引である場合には、オペレーティング・リース又はファイナンス・リースのいずれに該当するかを決定します。当社は、リース期間が12ヶ月以内のリース取引については、使用権資産及びリース負債を認識しておらず、また、非リース構成部分をリース構成部分と区分していません。オペレーティング・リースの使用権資産及び負債は、リース期間にわたり支払われるリース料の現在価値に基づいて開始日現在において認識しています。オペレーティング・リース費用は、リース期間にわたって定額法により認識され、一般管理費に含まれています。当社が有するオペレーティング・リース契約においては計算利率が示されていないことから、当社はリース料の現在価値を決定する際に、開始日に入手可能な情報に基づく追加借入利率を使用しています。追加借入利率は、有担保の完全分割返済型ローンを通じ、リース期間と同様の期間にわたり、同様の経済環境のもとで、リース料と同額の借入を行う場合に当社が支払うと想定される利率としています。

(7) 連結財務書類作成のための基本となる重要な事項の変更

該当事項はありません。

(8) 連結財務書類に関する注記事項

- (a) 連結貸借対照表、連結損益及び包括利益計算書、連結株主資本等変動計算書、連結キャッシュ・フロー計算書に関する注記事項

(連結貸借対照表)

当連結会計年度 (2023年12月31日)	前連結会計年度 (2022年12月31日)
※1 現金及び現金同等物は、現金並びに取得日後3ヶ月以内に満期日が到来する容易に換金可能なその他の投資で構成されております。2023年12月31日現在の現金同等物には、マネーマーケット及びミューチュアルファンド・アカウントが含まれます。	※1 現金及び現金同等物は、現金並びに取得日後3ヶ月以内に満期日が到来する容易に換金可能なその他の投資で構成されております。2022年12月31日現在の現金同等物には、マネーマーケット及びミューチュアルファンド・アカウントが含まれます。
※2 購入時の満期が3ヶ月超の投資を「投資」勘定として分類しています。投資勘定は公正価値で計上され、当該有価証券の満期日及びその性質に応じて流動又は非流動区分としています。2023年12月31日現在、投資勘定に残高はありません。	※2 購入時の満期が3ヶ月超の投資を「投資」勘定として分類しています。投資勘定は公正価値で計上され、当該有価証券の満期日及びその性質に応じて流動又は非流動区分としています。2022年12月31日現在、投資勘定は、預入時の満期が7ヶ月から13ヶ月の定期預金にて構成されています。
※3 有形固定資産の内訳 (米ドル(千円))	※3 有形固定資産の内訳 (米ドル(千円))
建物付属設備 12,579 (1,856)	建物付属設備 13,532 (1,996)
備品 134,106 (19,787)	備品 121,909 (17,987)
ソフトウェア 342,628 (50,554)	ソフトウェア 342,628 (50,554)
小計 489,313 (72,198)	小計 478,069 (70,539)
減価償却累計額 △ 443,513 (△ 65,440)	減価償却累計額 △ 432,800 (△ 63,859)
有形固定資産(純額) 45,800 (6,757)	有形固定資産(純額) 45,269 (6,679)
減価償却費 20,295 (2,994)	減価償却費 17,707 (2,612)
当社は減価償却費の認識に当たり耐用年数3年乃至5年の定額法を採用しています。建物付属設備は耐用年数5年で償却しています。2023年12月31日に終了した事業年度において計上した有形固定資産の減価償却費は、20,295米ドル(2,994千円)でした。	当社は減価償却費の認識に当たり耐用年数3年乃至5年の定額法を採用しています。建物付属設備は耐用年数5年で償却しています。2022年12月31日に終了した事業年度において計上した有形固定資産の減価償却費は、17,707米ドル(2,612千円)でした。
※4 未払債務及びその他の流動負債の内訳 (米ドル(千円))	※4 未払債務及びその他の流動負債の内訳 (米ドル(千円))
未払給与 824,390 (121,638)	未払給与 920,166 (135,770)
臨床治験に関する未払債務 1,034,720 (152,672)	臨床治験に関する未払債務 1,462,354 (215,770)
専門家報酬 35,753 (5,275)	専門家報酬 38,688 (5,708)
その他 164,375 (24,253)	その他 184,100 (27,163)
合計 2,059,238 (303,840)	合計 2,605,308 (384,413)

(b) 税効果会計

当社の2023年及び2022年12月31日現在における繰延税金資産・負債の重要な構成項目については、以下のとおりです。

	2023年 米ドル (千円)	2022年 米ドル (千円)
繰延税金資産		
繰越欠損金	69,980,468 (10,325,618)	70,142,367 (10,349,506)
資産計上されているライセンス	- (-)	934 (137)
研究開発費税額控除	10,034,233 (1,480,551)	9,629,956 (1,420,900)
ストック・オプション	1,497,450 (220,948)	1,526,644 (225,256)
その他（純額）	355,204 (52,410)	390,610 (57,634)
使用権資産	166,832 (24,616)	180,938 (26,697)
研究・実験費用	2,626,585 (387,552)	1,795,580 (264,937)
繰延税金資産合計	<u>84,660,772</u> <u>(12,491,696)</u>	<u>83,667,029</u> <u>(12,345,070)</u>
繰延税金負債		
使用権負債	△ 152,511 (△ 22,502)	△ 166,786 (△ 24,609)
仕掛研究開発費（IPR&D）	△ 1,343,213 (△ 198,191)	△ 1,343,213 (△ 198,191)
繰延税金負債合計	<u>△ 1,495,724</u> <u>(△ 220,694)</u>	<u>△ 1,509,999</u> <u>(△ 222,800)</u>
繰延税金資産（純額）	<u>83,165,048</u> <u>(12,271,002)</u>	<u>82,157,030</u> <u>(12,122,269)</u>
評価性引当金	△ 83,366,840 (△ 12,300,777)	△ 82,358,822 (△ 12,152,044)
繰延税金負債（純額）	<u>△ 201,792</u> <u>(△ 29,774)</u>	<u>△ 201,792</u> <u>(△ 29,774)</u>

当社は、繰延税金資産（純額）について、その実現可能性が不確実であることから評価性引当金を計上しています。2023年12月31日に終了した年度において、評価性引当金は1.0百万米ドル(147百万円)の増加となりました。当社は定期的に繰延税金資産の回収可能性を検討しており、当該繰延税金資産が50%超の確率で実現可能であると判断した場合には、評価性引当金が取崩されます。

当社は2023年12月31日現在、連邦税及びカリフォルニア州税上の繰越欠損金を、それぞれ約275.9百万米ドル(40,709百万円)及び約190.5百万米ドル(28,108百万円)有しております。連邦税上の繰越欠損金227.4百万米ドル(33,552百万円)は2024年より失効が開始し、連邦税上の繰越欠損金48.5百万米ドル(7,156百万円)は無期限に繰越が可能です。カリフォルニア州税上の繰越欠損金は2028年より失効が開始します。また当社は、2023年12月31日現在、連邦税及びカリフォルニア州税上の研究開発費に係る税額控除繰越額を、それぞれ約8.2百万米ドル(1,209百万円)及び約2.4百万米ドル(354百万円)有しております。連邦税上の研究開発費に係る税額控除繰越額は2024年より失効が開始しますが、カリフォルニア州税上では失効することなく、使用されるまで無期限で繰越可能です。

なお、1986年内国歳入法382条（以下「382条」）及び同383条（以下「383条」）並びに同様の州税法の規定により、「株主持分の変更」が発生した場合、将来の課税所得及び税金と相殺するために単年度においてそれぞれ使用できる繰越欠損金及び税額控除繰越額に制限が設けられる可能性があります。382条及び383条が規定するところによれば、一般に、ある特定の株主又は一般株主の株主持分が3年間で50%超増加した場合に、「株主持分の変更」とみなされます。当社は設立以来2022年12月までの期間についての、繰越欠損金及び試験研究費に係る税額控除繰越額の使用額制限に関する382条及び383条の分析作業を完了

し、この制限が発動するような「株主持分の変更」は生じていなかったことを確認しました。しかしながら、2022年12月以降、新たな「株主持分の変更」が発生しているリスクがあります。仮に「株主持分の変更」が発生しているとした場合、繰越欠損金及び税額控除繰越額がさらに消滅又は制限される可能性があります。仮に消滅していた場合には、関連する繰延税金資産及び評価性引当金の金額が減額されることとなります。ただし、評価性引当金はすでに計上済みであるため、今後米国における当社の事業に関連して、「株主持分の変更」による制限が発生しても、当社の実効税率に対する影響はありません。

法定連邦税率から当社の実効税率への調整は以下のとおりです。

	12月31日に終了した事業年度	
	2023年	2022年
	%	%
法定連邦税率	21.0	21.0
州税（連邦税上の税効果控除後）	6.3	6.4
税額控除	3.8	2.6
評価性引当金の増減	△ 11.8	△ 26.4
永久差異	-	△ 0.3
税務上の属性の失効	△ 12.0	△ 1.3
株式報酬	△ 1.9	△ 1.9
不確実な税務ポジション	△ 6.4	-
その他	1.0	△ 0.1
法人所得税の負担率	0.0	0.0

当社は連邦、カリフォルニア州、及び米国外の税務管轄区域において税務申告を行っています。当社は税務上の損失を計上していることから、設立当初から現在に至るまで、税務当局による税務調査の対象となる可能性があります。当社の方針として、税務上発生する利息及び課徴金は税金費用として認識します。2023年12月31日現在において、当社には未認識税務ベネフィット又は税務上の課徴金に係る重要な未払利息はありません。また、今後12か月以内において、未認識財務ベネフィットに重要な変動が起こることも予定しておりません。

(c) 公正価値の測定

公正価値とは、市場参加者間の秩序ある取引において、資産を売却するために受け取るであろう価格又は負債を移転するために支払うであろう価格、すなわち出口価格を指します。従って公正価値は、市場参加者が資産又は負債の価格付けを行う際に用いるであろう仮定に基づいて決定される市場を基礎とした測定値です。このような仮定を考慮する基礎として、公正価値ヒエラルキーを下記の3つのレベルに分類することにより、公正価値を測定する際に用いるインプットの優先順位づけを行っています。

- レベル1: 活発な市場における相場価格のような観察可能なインプット
- レベル2: 活発な市場における類似の資産・負債の相場価格、或いは測定日近辺では活発でない市場における同一又は類似の資産・負債の相場価格によるインプット
- レベル3: 市場データが皆無あるいはほとんどないため観察可能でないインプットであり、報告企業による独自の仮定が要求される。

金融商品の2023年12月31日及び2022年12月31日現在の帳簿価額及び公正価値（近似値）は以下の通りです。

	2023年12月31日現在		2022年12月31日現在		インプット レベル
	帳簿価額	公正価値	帳簿価額	公正価値	
	米ドル(千円)	米ドル(千円)	米ドル(千円)	米ドル(千円)	
現金同等物：					
ミューチュアルファ ンド	782,382 (115,440)	782,382 (115,440)	704,882 (104,005)	704,882 (104,005)	レベル 1
投資：					
定期預金	- (-)	- (-)	39,982,213 (5,899,375)	39,982,213 (5,899,375)	レベル 2

短期の投資には満期が3ヵ月超の定期預金が含まれていますが、これらは満期保有目的の有価証券に分類され、短期間で到来する満期とこれら金融商品の市場金利により公正価値に近似する償却原価で表示しています。

(d) 収益認識：ジェンザイム

2005年12月、アヴィジェン・インク（「アヴィジェン」）とジェンザイム間で、譲渡契約（「本譲渡契約」）が締結されました。本譲渡契約に基づきジェンザイムは、当初対価を支払うことでアヴィジェンから遺伝子治療に係る知的財産、開発プログラムその他の関連資産を取得しました。また本譲渡契約によれば、ジェンザイムがアヴィジェンによって従前に開発された技術を用いて製品の開発に成功した場合、アヴィジェンは、開発マイルストーン、サブライセンス料及びロイヤリティの追加的な支払いを受ける潜在的な可能性があります。2009年12月、当社はアヴィジェンを買収し、本譲渡契約における同社の権利・義務を継承しました。さらにジェンザイムが、本譲渡契約によって譲渡された技術を用いた製品の商業化又はマーケティングを、勤勉性をもって追求しなかった場合には、譲渡した権利の一部が将来のある時点で当社に返還される可能性もありました。

本譲渡契約において、製品の開発に責任を有するのはジェンザイムであり、当社にはさらなる実質的なサービスを提供する義務はないことから、本譲渡契約で概要が示されている開発マイルストーンは、マイルストーン・ペイメントに係る収益認識基準が定める実質的なマイルストーンに関する義務の定義を満たすものではありませんでした。2023年9月、当社は本譲渡契約の対象となるAAV（アデノ随伴ウイルス）ベクター技術に基づく遺伝子プロジェクトが、1件の臨床開発マイルストーンを達成したとの通知を受け、これによりマイルストーン・ペイメント1.0百万米ドル（147百万円）の受領権を得るに至りました。これに伴い当社は、2023年12月31日に終了した事業年度において1.0百万米ドル（147百万円）の収益を計上しました。

(e) リース取引

当社は、主に米国及び日本の不動産を対象としたオペレーティング・リース契約を有しております。このうち米国におけるリース契約は、サンディエゴの本社ビルを対象としたもので、期間が2027年1月31日までの5年間となっており、毎年リース料が増額されます。また当社の東京におけるリース契約は、リース期間が2025年5月までの2年間で、さらに2年間の自動更新条項が付されています。2023年6月、当社は日本のリース契約を更新しました。リース期間の終了時における更新が合理的に確実ではなかったため、この自動更新分はリース負債の測定に含まれておりません。これらの不動産に係るオペレーティング・リースは、当社の連結貸借対照表上「使用権資産」に含まれておりますが、これは当該契約のリース期間にわたって原資産を使用する当社の権利を表しています。一方、当社のリース料支払義務は、当社の連結貸借対照表上「オペレーティング・リース負債」及び「その他の非流動負債」に含まれています。

当社の使用権資産及びこれに関連するリース負債についての情報は以下の通りです。

	12月31日に終了した事業年度	
	2023年 米ドル (千円)	2022年 米ドル (千円)
オペレーティング・リース負債に係る支払額	257,326 (37,968)	198,035 (29,220)
オペレーティング・リース費用	257,931 (38,057)	248,610 (36,682)
新たにオペレーティング・リース負債と 引き換えに取得した使用権資産	139,001 (20,509)	- (-)
オペレーティング・リース負債 (流動)	215,926 (31,859)	157,505 (23,239)
オペレーティング・リース負債 (非流動)	410,660 (60,592)	523,619 (77,259)
オペレーティング・リース負債合計	626,586 (92,452)	681,124 (100,499)
加重平均残存リース期間 (年)	2.81	3.90
加重平均割引率	9.3%	9.8%

2023年12月31日現在におけるオペレーティング・リース負債の満期分析は以下のとおりです。

	米ドル (千円)
2024年	265,698 (39,203)
2025年	229,472 (33,858)
2026年	206,483 (30,466)
2027年	17,269 (2,548)
2028年	- (-)
2029年以降	- (-)
最低支払リース料合計	718,922 (106,076)
(控除) 利息相当額	△ 92,336 (△ 13,624)
リース負債合計	626,586 (92,452)

(f) ストック・オプション等

株式インセンティブ・プラン

2013年6月に当社は、2013年株式インセンティブ・プラン(「2013年プラン」)を設けました。このプランの下で、当社又は子会社のその時点における従業員、役員、非従業員取締役又はコンサルタントであった個人に対して、ストック・オプション、株式評価益権(SAR)、制限付株式及び制限付株式ユニット(RSU)を含む株式ベースの報奨が付与されました。2013年プランに基づく発行のために留保されている普通株式の総数は、8,700,000株でした。これに加えて、随時利用可能となる「返還株式」が、同プランに足し戻されていました。なお「返還株式」とは、当社が以前設定していた2004年株式インセンティブ・プランにより付与されたものの行使前又は決済前に期間満了又は契約終了した株式、権利確定に至らなかったため権利喪失した株式、買い戻された株式、さらにはこうした報奨に伴う源泉徴収義務や購入価格義務を履行するために天引処理された株式を指します。当社は、2013年プランの下での新たな報奨の付与は行っていないませんが、同プランの下で付与され未だ行使されていないものについては、引き続き同プランで定められた行使条件等が適用されます。

2023年6月に当社は、2023年株式インセンティブ・プラン(「2023年プラン」)を設けました。2023年プランの下では、当社又は子会社のその時点における従業員、役員、非従業員取締役又はコンサルタントである個人に対して、ストック・オプション、株式評価益権(SAR)、制限付株式、制限付株式ユニット(RSU)及びその他の報奨を付与することができます。2023年プランは2013年プランの後継プランです。2023年プランの下で発行可能な当社普通株式の数は、(a)2013年プランの下で付与された、同プランの終了時点で未行使であった報酬の対象株式であって、その後、行使前又は決済前に権利喪失、期間満了又は失効となったもの、及び2013年プランの下で付与された、同プラン終了時点で未行使であった報酬に基づき発行される株式であって、その後、当社により没収又は再取得されたもの、並びに(b)2013年プランの下で留保された株式であって、同プランの終了時点で2013年プランの下で発行されておらず、未行使の報酬の対象となっていなかったものの合計数に等しい数となります。2013年プランからの最大9,934,567株が、2023年プランの下で発行可能となる可能性があるものの、この数字は2013年プランの終了時点において2013年プランの下で未行使のすべての報酬が権利喪失となることを前提としているため、2023年プランに実際に追加される株式数はこれを下回ることが予想されます。一般に、2023年プランに基づく報酬が完全に行使又は決済される前に何らかの理由で権利喪失、取消し又は失効となった場合、当該報酬の対象株式は、2023年プランの下で再び発行可能となります。SARが行使され、又はRSUが決済された場合、参加者に実際に発行された株式数(もしあれば)のみが、2023年プランの下で利用可能な株式数を減少させます。制限付株式又はオプションの行使により発行された株式が、権利喪失条項、買戻権又はその他の理由により、当社により再取得された場合、当該株式は2023年プランの下で再び発行可能となります。オプションの行使価格の支払い又は報酬に関する税金の源泉徴収義務の履行のために留保された株式は、2023年プランの下で再び発行可能となります。また、報酬が株式ではなく現金で決済される場合、当該現金決済によって2023年プランの下で発行可能な株式数が減少することはありません。

2023年12月31日現在、2,152,818株が、2023年プランに基づく将来の付与のために利用可能な状態にあります。

付与された一部のストック・オプションには業績に関する条件が含まれており、その権利確定は、業績評価期間終了時において、取締役会あるいは報酬委員会で決定する、一定の企業目標の達成に関する判断に基づき行われます。取締役会あるいは報酬委員会がかかる決定を下した日が、当該報酬の付与日となります。付与日までの期間において、当該報酬に係る費用は、各報告日現在の公正価値に基づき測定されます。付与された業績報酬及び当該報酬に係る費用の見積公正価値は、業績目標の一定の達成度と公正価値を決定するその他の前提条件に基づいて決定されます。業績評価期間の終了時に付与日現在で最終的に認識される費用は、様々な要因により見積から乖離する可能性があります。要因には、業績目標の達成度や公正価値を決定するブラック＝ショールズ・モデルで使用される前提条件の変化、あるいは業績評価期間における当社の株価の変動が含まれます。2023年12月31日現在、2023年度の業績達成度に応じた付与の対象となる業績連動型ストック・オプションの株式総数は、730,350株でした。2024年1月、報酬委員会及び取締役会が2023年度の業績達成度を70%の水準に決定したことに伴い511,245株分の権利が確定し、残りは失効しました。

ストック・オプション

2023年プラン及び2013年プランにより付与されたオプションは、早期に終了しない限り、付与日より10年間有効であり、一般に付与日から1年ないし4年後に権利が確定します。

2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度中に付与されたすべてのオプションの行使価格は、付与日現在の当社の普通株式の市場価格と一致しています。

当社の2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度におけるストック・オプションの増減及び関連情報の要約は以下のとおりです。

	株式数 (株)	加重平均行使価格 米ドル (円)
2023年1月1日 現在未行使残高	7,985,250	5.55 (818)
付与数	788,683	2.39 (352)
行使数	-	- (-)
取消数	△ 992,184	3.27 (482)
2023年12月31日現在未行使残高	7,781,749	5.52 (814)
2023年12月31日現在行使可能残高	7,008,232	5.86 (864)
	株式数 (株)	加重平均行使価格 米ドル (円)
2022年1月1日 現在未行使残高	7,974,250	5.81 (857)
付与数	591,700	2.28 (336)
行使数	△ 3,000	2.64 (389)
取消数	△ 577,700	5.85 (863)
2022年12月31日現在未行使残高	7,985,250	5.55 (818)
	株式数 (株)	付与日 加重平均公正価値 米ドル (円)
2022年12月31日現在権利未確定残高	590,869	1.52 (224)
付与数	788,683	1.59 (234)
権利確定数	△ 579,351	1.51 (222)
失効数	△ 26,684	1.45 (213)
2023年12月31日現在権利未確定残高	773,517	1.61 (237)

2023年度及び2022年度中に行使されたオプションの本源的価値総額は、0米ドル(0円)及び1,410米ドル(208,045円)でした。また、未行使及び行使可能なオプションの2023年12月31日現在における加重平均契約期間は、それぞれ4.47年及び4.89年でした。

2023年及び2022年12月31日現在において、未行使のオプションの本源的価値総額は、共に0米ドル(0円)でした。また行使可能なオプションの本源的価値総額も、2023年及び2022年12月31日現在において共に0米ドル(0円)でした。2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度において、権利が確定したオプションの公正価値総額はそれぞれ0.9百万米ドル(132百万円)及び2.6百万米ドル(383百万円)でした。

報酬費用

当社はストック・オプションの見積公正価値を、付与日現在でブラック＝ショールズ・オプション評価モデルにより算定しており、ストック・オプションの付与について以下の加重平均による前提条件を使用しています。

	12月31日に終了した事業年度	
	2023年	2022年
ストック・オプション		
無リスク利率	3.83%	3.88%
普通株式の予想株価変動率	75.28%	78.81%
配当利回り	0.00%	0.00%
オプションの予想期間 (年)	4.68	4.70

無リスク利率の仮定値は、当社の従業員ストック・オプションの予想期間に応じた実際の利率に基づいております。予想株価変動率は、当社普通株式の株価のボラティリティに基づいております。当社は創立以来、普通株式について配当を支払ったことはなく、また予見し得る将来においても、普通株式について配当を支払うことは予定しておりません。従来のストック・オプションの行使状況のデータが予想期間の見積りに対する合理的な基礎を提供しないため、オプションの予想期間は、株式報酬に関する会計基準で定められている簡便法に基づいています。

2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度に付与した各ストック・オプションについて、付与日現在でブラック＝ショールズ・オプション評価モデルを使用して見積った加重平均公正価値はそれぞれ、オプション1個当たり1.59米ドル (234円) 及び1.47米ドル (216円) でした。

ストック・オプションに関連する株式報酬費用は各事業年度の営業費用合計に含まれています。

2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度における株式報酬費用の要約は以下のとおりです。

	12月31日に終了した事業年度	
	2023年 米ドル (千円)	2022年 米ドル (千円)
研究開発及びパテント費	240,268 (35,451)	237,071 (34,979)
一般管理費	470,442 (69,413)	405,451 (59,824)
合計	710,710 (104,865)	642,522 (94,804)

2023年12月31日現在、権利未確定のストック・オプション報奨に関連する未償却の報酬費用が0.1百万米ドル (14百万円) あり、これは加重平均の残存権利確定期間である0.06年にわたって定額法にて認識される見込みです。

(g) 一株当たり情報

当社は基本一株当たり純損失を、自己株式を除いた発行済普通株式の期中加重平均株式数で除して計算しております。希薄化後一株当たり純損失は、自己株式を除いた発行済普通株式及び潜在的に希薄化効果を有する証券 (普通株式同等物) の期中加重平均株式数で除して計算しております。発行済普通株式同等物は自己株式方式によって決定され、当社の未行使のストック・オプション契約に従って発行される可能性のある株式により構成されています。なお普通株式同等物は、逆希薄化効果がある場合、希薄化後一株当たり純損失の計算から除外されます。

2023年及び2022年12月31日に終了した事業年度において、ストック・オプションから構成される潜在的に希薄化効果を有する証券はそれぞれ7,781,749株及び7,985,250株であり、逆希薄化効果があるため、希薄化後一株当たり純損失の計算から除外されています。

5. 連結財務書類（日本円換算）

三菱UFJ銀行が発表した2024年1月31日現在の対顧客電信直物相場から算出した仲値147.55円にて円換算した連結財務書類は次の通りです。なお、表示科目は連結財務書類規則に準じて米国基準による科目から一部変更して表示しております。また記載金額は、表示単位未満を切り捨てて表示しております。

(1) 連結貸借対照表

(単位：千円)

	当連結会計年度 (2023年12月31日)	前連結会計年度 (2022年12月31日)
(資産)		
流動資産		
現金及び現金同等物 (※1)	7,524,967	2,730,485
前払費用及びその他の流動資産	25,812	73,686
投資 (※2)	—	5,899,375
流動資産合計	7,550,779	8,703,547
のれん	1,416,515	1,416,515
仕掛研究開発費 (IPR&D)	708,240	708,240
有形固定資産 (純額) (※3)	6,757	6,679
使用権資産	84,901	92,881
その他の非流動資産	10,940	13,691
資産合計	9,778,135	10,941,556
(負債及び株主資本)		
流動負債		
買掛債務	148,130	62,656
未払債務及びその他の流動負債 (※4)	303,840	384,413
オペレーティング・リース負債	31,859	23,239
流動負債合計	483,831	470,309
繰延税金負債	29,774	29,774
その他の非流動負債	60,592	77,259
負債合計	574,198	577,343
契約債務及び偶発債務		
株主資本		
普通株式 額面0.001米ドル	7,236	7,236
(授權株式数)	(100,000,000株)	(100,000,000株)
(発行済株式数)	(49,046,246株)	(49,046,246株)
払込剰余金	70,550,908	70,446,043
その他の包括損失累計額	△ 17,424	△ 17,010
累積欠損	△ 61,336,784	△ 60,072,057
株主資本合計	9,203,936	10,364,212
負債及び株主資本合計	9,778,135	10,941,556

(2) 連結損益及び包括利益計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)	前連結会計年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)
営業収益	147,550	—
営業費用		
研究開発及びパテント費	834,822	1,349,166
一般管理費	773,511	809,290
営業費用合計	1,608,334	2,158,457
営業損失	△ 1,460,784	△ 2,158,457
受取利息	270,704	119,467
その他の費用 (純額)	△ 74,198	△ 36,486
税引前当期純損失	△ 1,264,277	△ 2,075,476
法人所得税等	△ 449	△ 416
当期純損失	△ 1,264,727	△ 2,075,893
当期純損失	△ 1,264,727	△ 2,075,893
基本及び希薄化後 1 株当たり当期純損失	△ 25	△ 42
基本及び希薄化後 1 株当たり当期純損失の計算に使用 した株式数	49,046,246株	49,045,342株
当期純損失	△ 1,264,727	△ 2,075,893
その他の包括損失 (税引後) 為替換算調整勘定	△ 413	△ 2,421
包括損失	△ 1,265,141	△ 2,078,314

(3) 連結株主資本等変動計算書

(前期)

(単位：千円)

	普通株式		払込剰余金 金額	その他の包括 損失累計額 金額	累積欠損 金額	株主資本合計 金額
	株式数 (株)	金額				
2021年12月31日現在残高	49,043,246	7,236	70,350,071	△ 14,589	△ 57,996,164	12,346,553
株式に基づく報酬費用	-	-	94,804	-	-	94,804
オプション行使による普通株式発行	3,000	-	1,168	-	-	1,168
当期純損失	-	-	-	-	△ 2,075,893	△ 2,075,893
為替換算調整勘定	-	-	-	△ 2,421	-	△ 2,421
2022年12月31日現在残高	49,046,246	7,236	70,446,043	△ 17,010	△ 60,072,057	10,364,211

(当期)

(単位：千円)

	普通株式		払込剰余金 金額	その他の包括 損失累計額 金額	累積欠損 金額	株主資本合計 金額
	株式数 (株)	金額				
2022年12月31日現在残高	49,046,246	7,236	70,446,043	△ 17,010	△ 60,072,057	10,364,212
株式に基づく報酬費用	-	-	104,865	-	-	104,865
当期純損失	-	-	-	-	△ 1,264,727	△ 1,264,727
為替換算調整勘定	-	-	-	△ 413	-	△ 413
2023年12月31日現在残高	49,046,246	7,236	70,550,908	△ 17,423	△ 61,336,784	9,203,937

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 2023 年 1 月 1 日 至 2023 年 12 月 31 日)	前連結会計年度 (自 2022 年 1 月 1 日 至 2022 年 12 月 31 日)
営業活動：		
当期純損失	△ 1,264,727	△ 2,075,893
当期純損失から営業活動により生成された（使用された）現金（純額）への調整：		
非現金の株式に基づく報酬費用	104,865	94,804
減価償却費及び償却費	2,994	2,612
投資に係る未収利息	△ 51,109	△ 22,723
投資の解約費用	66,235	18,071
有形固定資産の処分損	69	-
使用権資産の帳簿価額の減少	28,698	28,730
営業資産及び負債の変動：		
前払費用及びその他の資産	42,439	22,221
買掛債務、未払債務及びその他の負債	2,838	48,545
オペレーティング・リース負債	△ 28,754	△ 21,470
営業活動によるキャッシュ・フロー（純額）	△ 1,096,449	△ 1,905,101
投資活動：		
投資による支出	-	△ 8,834,928
投資の解約による収入	5,891,526	2,932,928
有形固定資産の取得	△ 3,142	△ 739
投資活動によるキャッシュ・フロー（純額）	5,888,383	△ 5,902,739
財務活動：		
普通株式の発行及びストック・オプションの行使による収入	-	1,168
財務活動によるキャッシュ・フロー（純額）	-	1,168
現金及び現金同等物に係る換算差額	2,548	△ 2,480
現金及び現金同等物の増減額	4,794,482	△ 7,809,151
現金及び現金同等物の期首残高	2,730,485	10,539,637
現金及び現金同等物の期末残高	7,524,967	2,730,485
キャッシュ・フローに係る追記情報：		
オペレーティング・リース負債と引き換えに取得した使用権資産	20,509	-
法人税等支払額	541	-