



2024年12月期 通期 決算補足説明

MediciNova, Inc.

(東証スタンダード : 4875 / NASDAQ : MNOV)

2025年2月20日

CONTENTS

01. 2024年12月期 連結業績概要

02. 研究開発プロジェクト進捗アップデート

03. Appendix

連結業績概要①／損益計算書（要約）

※表示単位：米ドル／カッコ内：千円（1ドル=154.43円換算）

損益	2022年12月期		2023年12月期		2024年12月期	
		前期比		前期比		前期比
営業収益	0 (0)	—	1,000,000 (154,430)	—	0 (0)	—
研究開発費・特許費	9,143,792 (1,412,075)	—	5,657,895 (873,748)	61.9%	7,194,731 (1,111,082)	127.2%
一般管理費	5,484,857 (847,026)	—	5,242,370 (809,579)	95.6%	5,480,600 (846,369)	104.5%
営業利益	△ 14,628,649 (△ 2,259,102)	—	△ 9,900,265 (△ 1,528,897)	67.7%	△ 12,675,331 (△ 1,957,451)	128.0%
その他費用	△ 247,285 (△ 38,188)	—	△ 502,869 (△ 77,658)	203.4%	△ 39,485 (△ 6,097)	7.9%
受取利息	809,673 (125,037)	—	1,834,665 (283,327)	226.6%	1,670,804 (258,022)	91.9%
当社株主に帰属する 当期純利益	△ 14,069,083 (△ 2,172,688)	—	△ 8,571,516 (△ 1,323,699)	60.9%	△ 11,049,549 (△ 1,706,381)	128.9%

連結業績概要②／貸借対照表（要約）

※表示単位：米ドル

資産の部	2022年12月末		2023年12月末		2024年12月末	
		前期増減		前期増減		前期増減
現金及び現金同等物	18,505,493	－	50,999,442	+ 32,493,949	40,359,738	-10,639,704
前払費用・その他流動資産	499,403	－	174,938	-324,465	714,541	+539,603
仕掛研究開発費	4,800,000	－	4,800,000	±0	4,800,000	±0
長期性預金	39,982,213	－	0	-39,982,213	0	±0
のれん	9,600,240	－	9,600,240	±0	9,600,240	±0
有形固定資産	45,269	－	45,800	+531	25,507	-20,293
使用権資産	629,495	－	575,406	-54,089	356,904	-218,502
その他長期資産	92,792	－	74,151	-18,641	18,996	-55,155
資産合計	74,154,905	－	66,269,977	-7,884,928	55,875,926	-10,394,051

連結業績概要③／貸借対照表（要約）

※表示単位：米ドル

負債の部／純資産の部						
	2022年12月末	前期増減	2023年12月末	前期増減	2024年12月末	前期増減
買掛負債	424,646	－	1,003,937	+579,291	1,102,494	+98,557
支払債務・その他流動負債	2,605,308	－	2,059,238	-546,070	1,662,860	-396,378
オペレーティング・リース負債	157,505	－	215,926	+58,421	193,769	-22,157
繰延税金負債	201,792	－	201,792	±0	201,792	±0
その他長期負債	523,619	－	410,660	-112,959	211,460	-199,200
負債合計	3,912,870	－	3,891,553	-21,317	3,372,375	-519,178
払込剰余金	477,438,451	－	478,149,161	+710,710	479,340,901	+1,191,740
その他包括損失累計額	△ 115,285	－	△ 118,090	-2,805	△ 135,154	-17,064
累積欠損	△ 407,130,177	－	△ 415,701,693	-8,571,516	△ 426,751,242	-11,049,549
純資産合計	70,242,035	－	62,378,424	-7,863,611	52,503,551	-9,874,873

連結業績概要④／キャッシュ・フロー（要約）

※表示単位：米ドル／カッコ内：千円（1ドル=154.43円換算）

C F	2022年度		2023年度		2024年度	
		前期増減		前期増減		前期増減
営業活動による キャッシュ・フロー	△ 12,911,563 (△ 1,993,932)	—	△ 7,431,038 (△ 1,147,575)	+5,480,525 (+846,357)	△ 10,642,964 (△ 1,643,592)	-3,211,926 (-496,017)
投資活動による キャッシュ・フロー	△ 40,005,010 (△ 6,177,973)	—	39,907,716 (6,162,948)	+79,912,726 (+12,340,922)	△ 697 (△ 107)	-39,908,413 (-6,163,056)
財務活動による キャッシュ・フロー	7,920 (1,223)	—	—	—	—	—
現金増減額	△ 52,925,461 (△ 8,173,278)	—	32,493,949 (5,018,040)	+85,419,410 (+13,191,319)	△ 10,639,704 (△ 1,643,089)	-43,133,653 (-6,661,130)

CONTENTS

01. 2024年12月期 連結業績概要

02. 研究開発プロジェクト進捗アップデート

03. Appendix

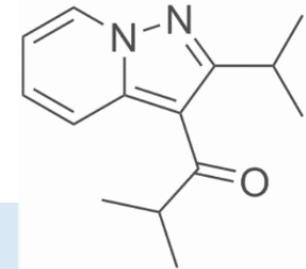
現在進行中の臨床試験（2025年2月20日時点）

プログラム		導出先	FDA指定	開発ステージ			
				前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
MN-166 イブジラスト	新型コロナウイルス感染後遺症（Long-COVID）					Phase2/3 進行中	
	筋萎縮性側索硬化症（ALS）		ファストトラック オーファンドラッグ	▶	▶	▶	Phase2b/3 進行中
	変性性頸椎脊椎症（DCM）					Phase2b/3 進行中	
	化学療法誘発性末梢神経障害（CIPN）			▶	▶	▶	Phase2b 進行中
	グリオブラストーマ（神経膠芽腫）		オーファンドラッグ	▶	▶	▶	Phase2 （データ解析中）
	覚醒剤依存症		ファストトラック	▶	▶	▶	Phase2 進行中
	アルコール使用障害（AUD）			▶	▶	▶	Phase2 進行中
MN-001 タイペルカスト	糖尿病性脂質異常症 非アルコール性脂肪性肝疾（NAFLD）		ファストトラック	▶	▶	▶	Phase2 進行中
SAR444836 （AAVベクター）	フェニルケトン尿症（PKU）	Genzyme Sanofiグループ		▶	▶		Phase1/2 進行中
	加齢黄斑変性（AMD）	Genzyme Sanofiグループ		▶	▶		Phase1/2 進行中

MN-166

イブジラスト

MN-166 (イブジラスト) 概要



開発コード	MN - 1 6 6
化学物質名	イブジラスト (I b u d i l a s t) (低分子化合物)
投与ルート	経口、静脈注射 など
メカニズム	MIF (マクロファージ遊走阻止因子) ・ホスフォジエステラーゼ (PDE、主に-3、4、10) 阻害作用など複数のメカニズム 炎症や免疫に関わるサイトカインを阻害し 前臨床研究・臨床研究において抗炎症作用及び神経保護作用を有することが確認されている。

MN-166 主な進捗① (2024年度)

①	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	新型コロナウイルス感染後遺症 (Long-COVID)	—			Phase2/3 進行中	
<p>現在、カナダの計9施設にて患者の組入れが継続進行中。 当該臨床試験はカナダ全土で約800~1,000人の患者組入れが予定されており、現時点での登録は450人超まで進捗。</p>						

②	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	筋萎縮性側索硬化症 (ALS)	ファストトラック オーファンドラッグ				Phase2b/3 進行中
<p>2024年10月 NEALS Meeting 2024年次総会にて、進行中のフェーズ2b/3臨床試験 (COMBAT-ALS) の進捗等を発表。 2024年12月 第35回 ALS/MND国際シンポジウムにて、中間解析の概況を発表。解析結果を踏まえ、プロトコルを変更せず、治験継続決定。 また、米国国立衛生研究所 (NIH) の資金提供によるExpand Access Protocol (拡大アクセスプロトコル) 臨床試験の準備中。</p>						

③	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	変形頸椎脊髓症 (DCM)	—			Phase2/3 進行中	
<p>現在、英国ケンブリッジ大学にて患者の組入れが継続進行中。</p>						

MN-166 主な進捗② (2024年度)

④	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	化学療法誘発性末梢神経障害 (CIPN)	—				
<p>オーストラリアの11施設にて患者の組入れが継続進行中。 当該臨床試験はオーストラリアで計100人の患者組入れが予定されており、現時点での登録は80人超まで進捗。</p>						

⑤	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	グリオブラストーマ (神経膠芽腫)	オーファンドラッグ				
<p>2024年6月米国臨床腫瘍学会 (ASCO) 2024年次総会にてフェーズ1b/2a臨床試験のデータを発表。 次ステップとなる臨床試験の開始に向けた準備を準備中。</p>						

⑥	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	覚醒剤依存症	ファストトラック				
<p>オレゴン保健科学大学との共同フェーズ2臨床試験にて患者の組入れが継続進行中。</p>						

MN-166 主な進捗③ (2024年度)

⑦	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	アルコール使用障害 (AUD)	—				
現在、ペンシルバニア大学との共同実施によるフェーズ2臨床試験において、患者の組入れが継続進行中。						

⑧	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	塩素ガス暴露に起因する急性肺損傷	ファストトラック オーファンドラッグ				
次頁にてFDAとの協議に関する経過及び今後の方針について詳説。						

MN-166 塩素ガス暴露に起因する急性肺損傷について

FDAとの協議に関する経過

時期	経緯
2024年3月	FDA Medical Countermeasures Initiative (MCMi) 部門へ協議ミーティングのリクエスト
2024年5月－7月	FDAから管轄部門の調整、ミーティングに関する指示
2024年7月	FDA管轄部門へのミーティング要請
2024年8月	FDAへミーティング資料提出
2024年9月	FDAとのミーティング実施

Animal Ruleに関する見解

- ヒトを対象とした有効性試験は実行不可能であり、倫理的でもない点については同意
- 塩素ガス暴露に起因する肺障害の適応症に限るならば、Animal Rule規制を用いることは合理的
- 一般的に、薬剤の有効性は、ヒトで予測される反応を示すと予想される複数の動物種モデルで実証されなければならない

本適応症における動物モデルに関する見解

- 本適応症においては、信頼できる動物モデルが確立されていない
- まずは動物モデルの妥当性と関連性を示し、確立することが必要

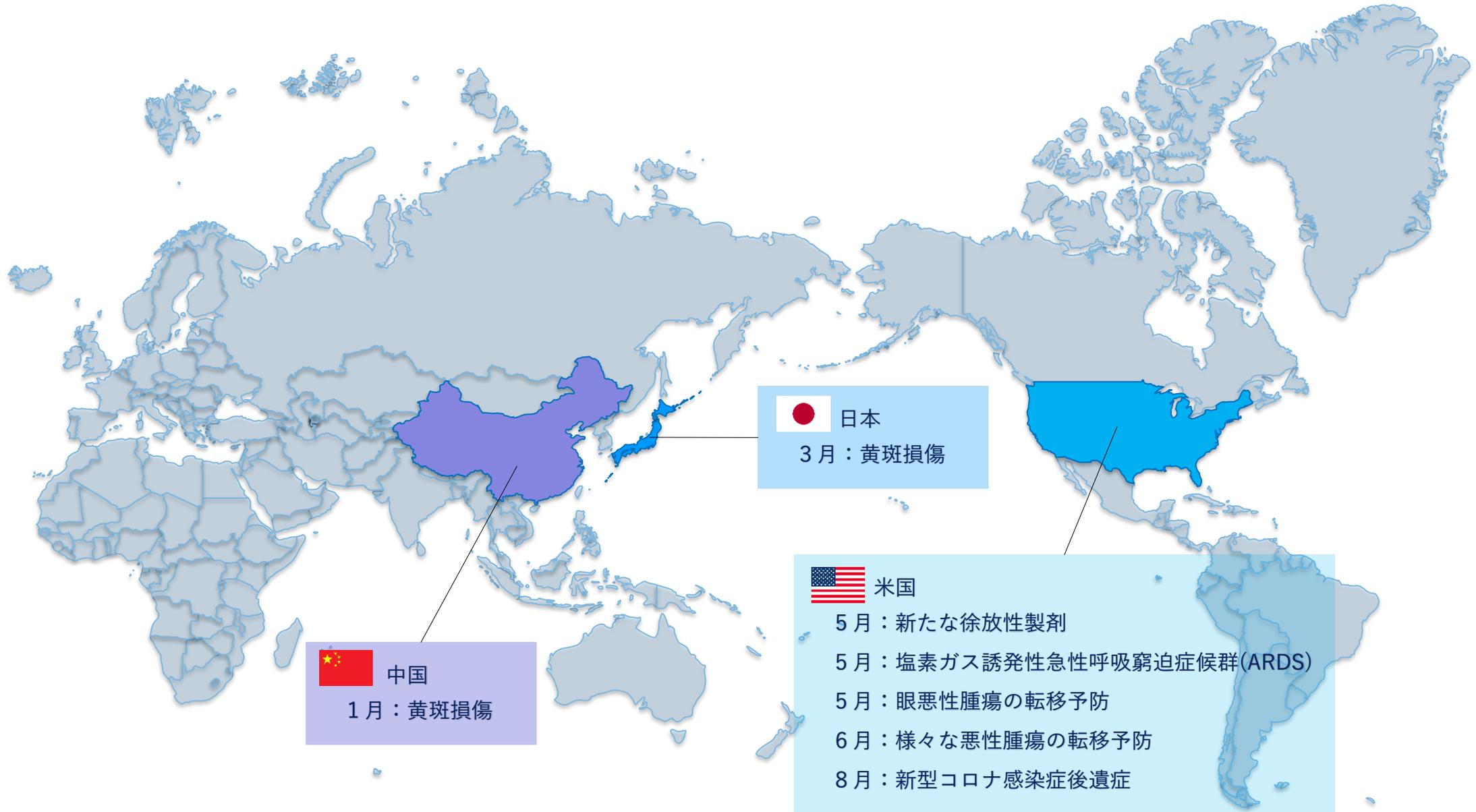
FDAからのその他のコメント

- MN-166の作用機序に基づくと、この潜在的な効果は塩素ガス暴露による二次的なARDS/ALIに限定されると思われる

今後の方針

- 本プロジェクト開始時にBARDAより「開発・検証済み」と推奨されたマウスモデル自体に問題があり、当該動物試験は中断された
- ヒツジモデル試験ではポジティブな結果が得られたものの、単一のモデル試験データだけでは不十分
- “いかなる生物種においても未だ確立できていない”動物モデルの妥当性と関連性を当社が確立することは“当社の最善の利益”ではない
- 現時点では、本プロジェクトへの更なる人的・財政的な努力及び投資を行わない

MN-166 新たな特許 (2024年度)



MN-001

タイペルカスト

MN-001 (タイペルカスト) 概要

開発コード

MN-001

化学物質名

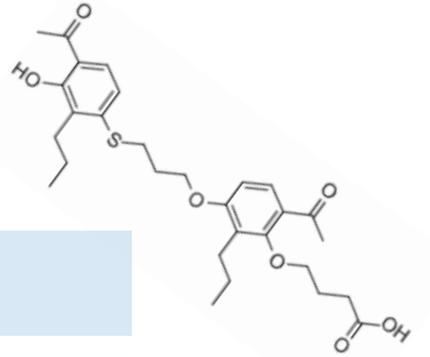
タイペルカスト (Tipelkast) (低分子化合物)

投与ルート

経口剤

メカニズム

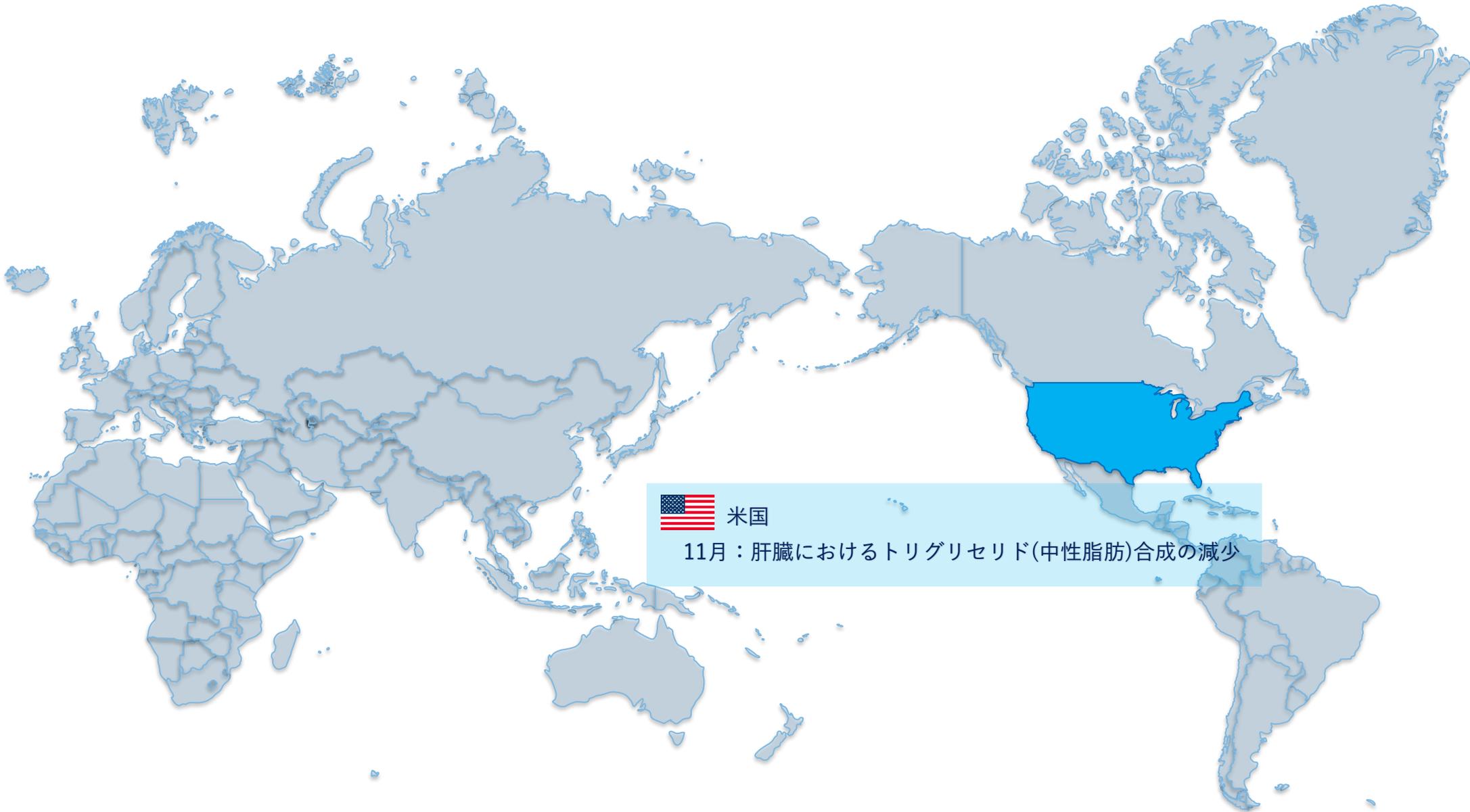
ロイコトリエン受容体拮抗作用、ホスフォジエステラーゼ (PDE、主に-3 及び 4) の阻害、5-リポキシゲナーゼの阻害等。
これらの複数のメカニズムが知られる。
これまでの動物試験や臨床研究より血清中の中性脂肪やコレステロールを改善することが知られている。



MN-001 主な進捗 (2024年度)

	プログラム	FDA指定	開発ステージ			
			前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
①	糖尿病性脂質異常症 非アルコール性脂肪性肝疾患 (NAFLD)	ファストトラック				
<p>2024年5月 第92回 欧州アテローム性動脈硬化学会年次総会にて、進行中の臨床試験に関する進捗等を発表。 また、同年次総会にて、順天堂大学との脂質代謝メカニズムに関する共同研究に関するデータを発表。 現在、米国内の2施設にてフェーズ2臨床試験の患者組み入れ進行中。</p>						

MN-001 新たな特許 (2024年度)



SAR444836

アデノ随伴ウイルスベクター

SAR444836 (アデノ随伴ウイルスベクター技術) 主な進捗 (2024年度)

①	プログラム	導出先	FDA指定	開発ステージ			
				前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	フェニルケトン尿症 (PKU)	Genzyme Sanofi グループ	—				
<p>現在、米国、アルゼンチン、ブラジル、イスラエル、トルコの計8施設にて患者登録を進行中。 当該臨床試験は計32名の患者登録を予定。</p>							

②	プログラム	導出先	FDA指定	開発ステージ			
				前臨床	Phase1	Phase2	Phase3
	加齢黄斑変性 (AMD)	Genzyme Sanofi グループ	—				
<p>現在、米国の計6施設にて患者登録を進行中。 当該臨床試験は計66名の患者登録を予定。</p>							

<特許侵害訴訟>

Sanofi社及びNovartis社間にて進められてきた遺伝子治療薬の特許侵害訴訟について、両社間にて和解が成立。

当該訴訟には、当社子会社Avigen, Inc.がSanofi社子会社のGenzyme Corporationに導出した特許も含まれており、訴訟の和解成立により当社が損害賠償金を受け取る権利が発生。

現在、Sanofi社より提示された損害賠償金の受領額について、詳細確認中。

CONTENTS

01. 2024年12月期 連結業績概要

02. 研究開発プロジェクト進捗アップデート

03. Appendix

会社理念

十分な治療がまだ確立していない疾病を患う世界中の患者さんに、よりよい治療を提供することにより社会に貢献すること。

基本経営方針

理念を具現すべく、こうした疾病の問題を改善する医薬品の導入、開発、販売を手がけるグローバルな製薬企業を目指すこと。

会社概要

本 社	4275 Executive Square, Suite 300, La Jolla, California 92037, USA
東 京 事 務 所	東京都港区西新橋1-2-9 日比谷セントラルビル
設 立 年 月 日	2000年9月26日
資 本 の 部	52,503,551米ドル（約81.0億円）※2024年12月末時点
上 場 市 場	東証スタンダード（2005年2月8日上場） 米国NASDAQ（2006年12月7日上場）
事 業 内 容	医薬品の開発

執行体制・ガバナンス体制

執行役員	役職	主な経歴
岩城 裕一	代表取締役社長兼CEO (最高経営責任者)	ピッツバーグ大学教授、南カリフォルニア大学教授 ジャフコ、日本政策投資銀行顧問
松田 和子	取締役兼CMO (最高医学責任者)	南カリフォルニア大学Keck メディカルスクール助教授 ロサンジェルス小児病院、ロマリンド大学小児病院
デビッド・クリーン	CBO (最高業務責任者)	Allergan (現AbbVie) .シニアディレクター Objective Capital Partners.マネージング・ディレクター
ジェイソン・クルーガー	CFO (最高財務責任者)	Signature Analytics, Inc. 最高経営責任者 Deloitte & Touche

(独立) 取締役

キャロリン・ビーバー	取締役、監査委員 (委員長)、 報酬委員 (委員長)、指名・統治委員	オルガノボホールディング.取締役、セクオコム.CFO ベックマンコールター.CAO
長尾 秀樹	取締役、指名・統治委員 (委員長)、 監査委員、報酬委員	佐川アドバンス・SGシステム.監査役、SGアセットマックス.社長 SGホールディングス.経営戦略部担当部長 日本政策投資銀行.新産業創造部長
ニコール・ルメロン	取締役、監査委員、報酬委員、 指名・統治委員	NVキャピタル.マネージング・パートナー InMed Pharmaceuticals, Inc. 取締役 GeoVax Labs, Inc. 取締役

MediciNova, Inc. (メディシノバ・インク)
東京事務所 IR担当

URL : <https://medicinova.jp/>

E-mail : infojapan@medicinova.com

免責事項

- 本資料は、弊社をご理解いただくための情報提供を目的としたものであり、弊社が発行する有価証券への投資を勧誘するものではありません。本資料に全面的に依拠した投資等の判断は差し控え願います。
- 本資料に記載されている弊社以外の企業に関わる情報は、公開されている情報などから引用しており、その情報の正確性などについて保証するものではありません。
- 本資料に記載されている将来の見通しに関する記述は、本資料の日付現在において入手可能な情報を踏まえた当社グループの現在の前提及び見解に基づくものであり、将来の業績の保証を意味するものではありません。また当社は、本資料に記載される将来の見通しに関する記述その他当社が行う将来の見通しに関する記述を更新する義務を負いません。