

主要パイプライン

	コアプログラム/インディケーション	パートナー/助成金	FDA指定	フェーズ1	フェーズ2	フェーズ3
<b>MN-166 経口 抗炎症 / 神経保護作用</b>						
神経変性疾患	進行型多発性硬化症	国立神経疾患脳卒中研究所 (NINDS)・NeuroNEXT、クレーブランド・クリニック / NeuroNEXT	ファストトラック	フェーズ2完了		
	ALS (筋萎縮性側索硬化症)	カロライナ・ヘルスケアシステム神経科学研究所、神経筋・ALS・MDAセンター MGHハーバード大学 (バイオマーカー)	ファストトラック オーファンドラッグ	フェーズ2完了		
	DCM (変性性頸椎椎骨症)	ケンブリッジ大学 / イギリス国立疾病研究センター (NIHR)		実施中		
	化学療法誘発性末梢神経障害	シドニー大学コンコルド癌センター		実施中		
薬物嗜好品依存症	メタンフェタミン (覚醒剤) 依存症	UCLA / 国立薬物濫用研究所 (NIDA) ポートランド在郷軍人病院・オレゴン保健科学大学 (バイオマーカー)	ファストトラック	フェーズ2完了		
	オピオイド (ヘロイン、処方鎮痛剤) 依存症	コロンビア大学 / 国立薬物濫用研究所 (NIDA)		フェーズ2完了		
	アルコール依存症	UCLA / アルコール濫用・アルコール依存症研究所 (NIAAA)		フェーズ2完了 / フェーズ2b実施中		
	グリオブラストーマ (神経膠芽腫)		オーファンドラッグ			
<b>MN-001 経口 抗炎症 / 抗線維化</b>						
	NASH (非アルコール性脂肪性肝炎)	SC肝臓疾患研究コンソーシアム (SCLRC) (SC Liver Research Consortium)	ファストトラック	早期終了		
	IPF (特発性肺線維症)	ペンシルバニア州立大学	ファストトラック オーファンドラッグ	実施中		

\* 準備中

ファストトラック (優先承認審査制度) とは

- FDAの規定によると、治験薬がファストトラックの指定を受けるためには、
- 1) 治験対象となる疾患が深刻あるいは生命を脅かす危険性があり
  - 2) 現在充たされていない医療ニーズを充たす可能性のあることが条件となっています。ファストトラックに指定された医薬品には、以下の特例のうち一部またはすべてが適用されます。
    - 医薬品の開発計画について、医薬品の承認をサポートするデータ収集の確保のためにFDAと頻繁なミーティングが行われる。
    - 迅速承認—不可逆的な死亡率などに比べ早く結果が出る代替評価項目による評価で臨床効果が有効であることが見極められたときには、早期に承認を受けることができる。
    - 優先審査—FDAは、提出から6か月以内に審査を完了することを目標とする。
    - 逐次審査—NDA申請の際の審査用資料について、製薬企業は資料全体の完成を待たずに完成したセクションから順次提出し審査を受けることができる。

オーファンドラッグ (希少疾患治療薬) とは

患者数が少ない、治療法の確立していない稀な疾病に対する医薬品のことをオーファンドラッグとよびます。米国では、米国内における患者数が20万人未満の希少疾患に対する、安全で効果的と考えられる医薬品に対してオーファンドラッグの指定を受けることができます。患者数が20万人を超える疾患でも治療法が確立していない難病などの治療薬で、開発および販売にかかる費用の回収が困難と思われる場合にもオーファンドラッグの指定を受けることができます。オーファンドラッグに指定されると、医薬品がFDAに承認された後、7年間の排他的先発販売権が与えられたり、税制での優遇措置が受けられます。

メディシノバをカバーしているアナリストをご紹介します

証券会社や調査会社等に所属し、メディシノバの業績・戦略などを分析して推奨・論評を行っている国内外のアナリストをご紹介します。リサーチレポートやレーティングの内容につきましては、各証券会社・調査機関にお問い合わせ下さい。



アナリストカバレッジ

会社名	アナリスト名
株式会社SBI証券	田中 智大
クレディ・スイス証券株式会社	陳 彦廷 Ph.D.
内藤証券株式会社	高橋 俊郎
野村證券株式会社	中桐 成美
B. Riley FBR, Inc.	David Buck
Ladenburg Thalmann Financial Services Inc.	Matthew L. Kaplan
LifeSci Capital LLC	David Sherman, Ph.D.
Zacks Investment Research	David Bautz, Ph.D.

(社名50音順・アルファベット順、敬称略)

注意事項

- \* この一覧表は、掲載時点で当社が入手可能な情報に基づいて当社の基準により作成されています。そのため、この一覧表に掲載されていないアナリストも存在する可能性があること、アナリストの異動等すべての情報が最新ではない可能性があることをご了承ください。
- \* この一覧表に掲載されたアナリストは、独自の判断に基づき当社の業績予想や戦略分析を行っており、当社および当社の経営陣はそれらの過程に一切関与していません。
- \* この一覧表は、株主・投資家の皆様へ当社を担当しているカバアナリストをお知らせすることを趣旨としたものであり、当社株式の売買を勧誘・推奨するものではありません。
- \* 実際の投資に際しては、ご自身の判断と責任において投資判断を行っていただきますようお願いいたします。

メディシノバ 東京事務所

〒105-0003 東京都港区西新橋1-11-5 新橋中央ビル5F  
TEL:03-3519-5010 FAX:03-3593-2721  
www.medicinova.jp



# MEDICINOVA VOICE

株主通信 Vol.24  
中間決算のご報告  
(2018年1月1日～2018年6月30日)

## Top Message

FDAからのポジティブなフィードバックをはじめ、開発が大きく前進していることをご報告いたします。

株主の皆様におかれましては、平素より格別のお引き立てにあずかり厚くお礼申し上げます。

前回の株主通信vol.23以降のトピックは、主要プログラムのMN-166に関して多くの進展があったことです。第2四半期決算説明会の「今後の開発プラン」の中でもスケジュールさせていただきました通り、9月にALS (筋萎縮性側索硬化症) を適応とするフェーズ3臨床試験に向けてFDA (米国食品医薬品局) からポジティブなフィードバックを受領したことを報告させていただきました。次の試験がフェーズ3臨床試験となり、ALS機能評価スケールで評価し、MN-166投与群がプラセボ群に比較して統計学的に有意な効果を認めた場合、試験は一回で十分で、より広いALS患者グループ群を参加させることが望ましいとの内容のフィードバックでした。このフィードバックを受けてフェーズ3臨床試験のプロトコルデザインを速やかにまとめたいと考えています。また、ALSを適応とするバイオマーカーで評価する臨床試験は、7月に患者登録が完了しました。

ほかの適応では、5月には米国国立薬物乱用研究所からの助成金を受け行われるアルコール摂取障害および離脱症を適応とするUCLAとの共同臨床試験の開始を、8月にはイギリス国立疾病研究センター (NIHR) からの研究助成金を受け行われるDCM (変性性頸椎椎骨症) を適応とするケンブリッジ大学とのフェーズ2/3共同臨床試験の開始を報告させていただきました。さらには、アルコール摂取障害を適応とするフェーズ2b臨床試験に対し、米国国立アルコール摂取障害・依存研究所よりR01研究助成金が授与されたことを報告させていただきました。

論文、指定承認、特許に関しては、8月に進行型多発性硬化症のフェーズ2b臨床試験結果が世界医学雑誌ランキング総合医学部門で第1位にランクされているNew England Journal of Medicineに論文掲載されたことを報告させていただきました。10月には、グリオブラストーマ (神経膠芽腫) 治療適応に対するオーファンドラッグ指定をFDAより受けました。これで当社のプログラムでのオーファンドラッ



代表取締役社長兼CEO (最高経営責任者)

岩城 裕一

グ指定は計4本となりました。また、MN-001に関しては、6月に高中性脂肪血症、高コレステロール血症および高リポタンパク血症を適応とする特許が日本でも承認されました。

今後も、株主の皆様のご期待に応えられるよう社員一同、臨床開発、導出活動に邁進する所存でございます。株主の皆様には、今後ともなお一層のご理解、ご支援を賜りますようお願い申し上げます。

平成30年10月

CLOSE UP

メディシノバの研究開発は公的なサポートを得ています

メディシノバは現在、世界最高レベルのパートナーとともに複数の臨床開発を行っています。それぞれのプロジェクトには、米英の権威ある公的機関から助成金を得ています。メディシノバはこうした周囲の信頼と期待を受けながら、確かなサポートのもとで開発を推進しています。

MN-166の開発のために獲得した公的な資金

適応症	ステージ	進捗	パートナー	助成金ソース	金額
進行型多発性硬化症	フェーズ2b	終了	Neuro-NEXT	米NIH	1,170万ドル
	フェーズ2b	終了	Neuro-NEXT	米MS財団	50万ドル
ALS (筋萎縮性側索硬化症)	フェーズ2	終了	カロライナ・ヘルスケアシステム神経科学研究所	米NCHI	非公開
DCM (変性性頸椎椎骨症)	フェーズ2/3	進行中	ケンブリッジ大学	英NIHR	180万ドル
メタンフェタミン (覚醒剤) 依存症	フェーズ1	終了	UCLA	米NIH	非公開
	フェーズ2	終了	UCLA	米NIDA	270万ドル
オピオイド (ヘロイン、処方鎮痛剤) 依存症	フェーズ2	進行中	オレゴン保健科学大学	米VA Fund	非公開
	フェーズ1	終了	コロンビア大学	米NIDA	非公開
アルコール依存症	フェーズ2	終了	コロンビア大学	米NIDA	非公開
	フェーズ1	終了	UCLA	米NIAAA	40万ドル
化学療法誘発性末梢神経障害	フェーズ2	進行中	UCLA	米NIAAA	非公開
	フェーズ2	進行中	UCLA	米NIAAA	250万ドル
13プロジェクト			シドニー大学	コンコルド癌センター	非公開
				合計	1,960万ドル (約22億円) (公開されているものの合計)

病に苦しむ世界中の患者さんのために、  
新薬を創り、届けること。  
それがメディシノバの使命です。

日本のすぐれた創業技術をかかえて、  
安全で有効な新薬を世界へ届ける…  
患者さんの笑顔をつくるのが、私達の仕事です

会社理念

充分な治療法がまだ確立していない疾患を患う  
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  
グローバルな製薬会社を目指すこと

# ALS適応のMN-166に対しFDAがフェーズ3への“青信号”

メディシノバは、ALS(筋萎縮性側索硬化症)を適応とするMN-166に関するFDA(米国食品医薬品局)とのミーティングの結果として、FDAからフェーズ3臨床試験に関するポジティブなフィードバックを受領しました。

2014年にアメリカで始まったALS支援運動「アイス・バケツ・チャレンジ」から4年。ALSは、いまだ有効な治療法が確立されていない難病として脅威となっています。最近では、TV番組でも活躍した学習院大学の篠沢秀夫名誉教授が2017年10月、イギリスの理論物理学者スティーヴン・ホーキング博士が2018年3月、この病で命を落としました。

メディシノバはこの難病に挑み、ファストトラック指定およびオーファンドラッグ指定を受けてフェーズ2臨床試験を実施してきました。そしてついにFDAから、フェーズ3臨床試験に向けての“青信号”であるフィードバック(右記要点)を受領しました。これにより、ALS患者に一刻も早く治療薬を届けるべく開発を進めていきます。

【詳細はWebサイトの「IRニュース」をご覧ください。  
[http://medicinova.jp/wp/wp-content/uploads/2018/09/09262018\\_1.pdf](http://medicinova.jp/wp/wp-content/uploads/2018/09/09262018_1.pdf)】

- 次の試験において、ALS機能評価スクールでの評価で統計学的に有意な効果を認めた場合、試験は1回で十分である
- 現時点では安全性に問題は認められない
- ALSは希少疾患であることから、上市申請に対してFDAはフレキシブルにサポートする



## ALSフェーズ2臨床試験サブグループ解析データ

### サブグループ解析の対象

プロトコルで定義された「試験登録した全患者において試験薬を最短14日間服用し、最低1度の治療効果評価を受けた患者グループ」(Full Analysis Set:FAS)に含まれる上肢発症型・球麻痺発症型の患者

- 1) Early ALS FASグループ49名のうち上肢・球麻痺発症サブグループに含まれたのは31名
- 2) 全ALS (Early+Advanced ALS) FASグループ67名のうちサブグループに含まれたのは39名

治療反応者は、6カ月間の二重盲検期間の終了時にスコアが悪化していない(スコアが改善またはスコアの変化がない)患者と定義。

### サブグループ解析の結果

ALSFRS-R合計スコア		MN-166+リルゾール	プラセボ+リルゾール	p value
早期ALSサブグループ	治療反応者	30.0% (6/20)	9.1% (1/11)	p=0.1916
	治療改善者	25.0% (5/20)	0.0% (0/11)	p=0.0912
全ALSサブグループ	治療反応者	26.9% (7/26)	7.7% (1/13)	p=0.1644
	治療改善者	23.1% (6/26)	0.0% (0/13)	p=0.0706

ALSAQ-5スコア治療反応者		MN-166+リルゾール	プラセボ+リルゾール	p value
早期ALSサブグループ		60.0% (12/20)	9.1% (1/11)	p=0.0071
全ALSサブグループ		50.0% (13/26)	23.1% (3/13)	p=0.1017

\*ALSAQ-5スコアは、ALS患者のクオリティ・オブ・ライフ(QoL)を主観的に評価するスコア。患者自身が身体的可動性、日常生活の自立的活動性、食事・飲料などの経口摂取のレベル、コミュニケーションや情緒反応などを評価。

MMTスコア治療反応者		MN-166+リルゾール	プラセボ+リルゾール	p value
早期ALSサブグループ		35.0% (7/20)	18.2% (2/11)	p=0.2866
全ALSサブグループ		34.6% (9/26)	23.1% (3/13)	p=0.3626

\*徒手筋力テスト(Manual Muscle Testing:MMT)スコアは、0から5の指標で段階的に評価し、ALS患者の筋力を包括的に測定するもので、ALS患者は、疾患の進行により症状が悪化するにつれてMMTスコアが減少。

# MN-166が新たな適応症でオーファンドラッグ指定

MN-166が新たにグリオブラストーマ(神経膠芽腫)適応の治療薬として、TMZ(テモゾロミド)との併用療法でFDAよりオーファンドラッグに指定されました。

グリオブラストーマは非常に進行が早く、致死性も高い脳腫瘍です。米国脳腫瘍学会によると全脳腫瘍の15%、グリオーマ(神経膠腫)の56%近くを占めており、悪性脳腫瘍の中でも最も多く、米国では、2018年に約12,760名の患者が新たに診断されると考えられています。

グリオブラストーマと診断された患者の2年生存率は30%で、診断後36カ月以上生存可能な患者はわずか5%と言われています。近年の医療技術の進展向上にも関わらず、その予後についてはわずかな改善がみられているにすぎません。

このような深刻な悪性腫瘍に対し、MN-166がTMZとの併用療法でオーファンドラッグ指定を受けたことは、非常に意義が大きいと考えています。



【詳細はWebサイトの「IRニュース」をご覧ください。  
[http://medicinova.jp/wp/wp-content/uploads/2018/10/10052018\\_1.pdf](http://medicinova.jp/wp/wp-content/uploads/2018/10/10052018_1.pdf)】

## 貸借対照表

(百万円/単位未満切捨て)

科目	前期末 (2017年12月)	当中間期 (2018年6月)	増減額
<b>資産の部</b>			
流動資産	3,131	7,141	4,010
固定資産	1,668	1,599	△69
資産合計	4,799	8,741	3,942
<b>負債の部</b>			
流動負債	318	173	145
固定負債	209	212	△3
負債合計	528	385	143
<b>純資産の部</b>			
株主資本	4,271	8,355	4,084
資本金	4	4	0
払込剰余金	42,022	46,955	4,933
累積欠損	△37,744	△38,594	△850
その他の包括損失累計額	△10	△10	0
純資産合計	4,271	8,355	4,084
負債及び純資産合計	4,799	8,741	3,942

注) 米国会計基準に準拠した財務諸表の科目を一部変更しています。  
 三菱東京UFJ銀行の2018年6月29日現在の対顧客電信直物相場から算出した仲値1ドル=110.54円にて円換算しています。

## 損益計算書

(百万円/単位未満切捨て)

科目	前上期 (2017年1月~ 2017年6月)	当上期 (2018年1月~ 2018年6月)	増減額
売上高(営業収益)	—	—	—
● 営業費用	644	891	247
営業利益	△644	△891	△247
営業外収益	3	3	0
税金等調整前当期純利益	△641	△849	△208
当社株主に帰属する当期純利益	△641	△849	△208
当期純利益	△641	△849	△208

## CHECK POINT

- **資産合計** 公募増資の実行、ワラント行使等の財務・投資活動により約46.3億円のキャッシュ・イン、営業活動による約6.3億円のキャッシュ・アウトを相殺し、現金及び現金同等物が約40億円増加。2019年12月31日までの事業運営資金をカバーしています。
- **株主資本** 累積欠損が約8.5億円増加する一方、本年2月に実施した公募増資で455万株、ワラント行使で75万株の新株発行が行われたことを主として合計543万株の普通株を発行し、払込剰余金が約49.3億円増加しました。
- **営業費用** 前年同期に比べ、臨床試験に係る費用が増加したこと、業績目標に対する達成度に基づく発行済みストック・オプションの会計上の評価額が上昇したことにより、費用計上額が増加しました。

## 株式の状況

授権株式総数	103,000,000株 (2018年9月30日現在)	純資産	83億55百万円 (2018年6月30日現在)
発行済普通株式の総数	41,879,073株 (2018年9月30日現在)	株主数	15,511名 (2018年4月12日現在)
JASDAQ証券コード	4875		
NASDAQティッカー	MNOV		



### 【大株主】(2018年4月12日現在)

株主名	所有株式数 (株)	発行済株式数 に対する 所有株式数の 割合(%)
里見 治	1,467,000	3.57
キッセイ薬品工業株式会社	1,400,000	3.40
エセックス・ウッドランド・ヘルス・ベンチャーズ・ファンド VI・エルピー	1,170,370	2.85
岩城 裕一	865,594	2.10
ステート・ストリート・バンク・アンド・トラスト・カンパニー	677,762	1.65
JPモルガン・チェース・バンク(IA)	636,250	1.55
日本証券金融株式会社	583,800	1.42
日本トラスティサービス信託銀行(信託財産口/投信)	540,000	1.31
松井証券株式会社	536,500	1.30
ジェフリーズ・エルエルシー	526,063	1.28

### 株主メモ

- 証券コード：JASDAQスタンダード 4875
- 決算期：12月31日
- 売買単位：100株(東証JASDAQ市場)
- 株式事務取扱機関：東京都千代田区丸の内1丁目4番1号 三井住友信託銀行株式会社
- 事務取扱場所：東京都杉並区和泉2丁目8番4号 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部
- 株主名簿管理人：American Stock Transfer & Trust Company (アメリカン・ストック・トランスファー・アンド・トラスト・カンパニー) 6201 15th Ave. Brooklyn, NY 11219, USA