

メディシノバ

4875 東証 JASDAQ

2015 年 10 月 22 日（木）

Important disclosures
and disclaimers appear
at the back of this document.

企業調査レポート
執筆 客員アナリスト
佐藤 譲

■創薬ベンチャーで 8 つのプログラムの開発を進める

メディシノバ<4875> (MediciNova, Inc.) は、2000 年に設立された米国本社の創薬ベンチャーで、東証 JASDAQ と米 NASDAQ に株式を上場している。現在は米国を中心に事業活動を行っており、主に MN-166 (イブジラスト)、MN-001 (タイベルカスト) の 2 つの低分子化合物、8 つのプログラムの開発を進めている。将来的には開発品のライセンスアウトだけでなく、販売も行うグローバル製薬企業を目指している。

MN-166 は進行型多発性硬化症、筋萎縮性側索硬化症などの神経変性疾患のほか、覚せい剤依存症やアルコール依存症など薬物・嗜好品依存症の治療薬としての開発を進めている。現在はいずれもフェーズ 2 の段階で、国立衛生研究所 (NIH) やその下部組織などから助成金を得て、医療施設と連携しながら治験を進めている。また、クラーベ病向け治療薬として、2015 年 6 月にオーファンドラッグ指定を受けている。将来、同プログラムで新薬承認が得られれば、米国食品医薬品局 (FDA) が発行する「優先審査バウチャー」を取得できる可能性が高い。同バウチャーは自由に売買でき、その価値は 100 ～ 300 億円とも言われているだけに、今後の動向が注目される。

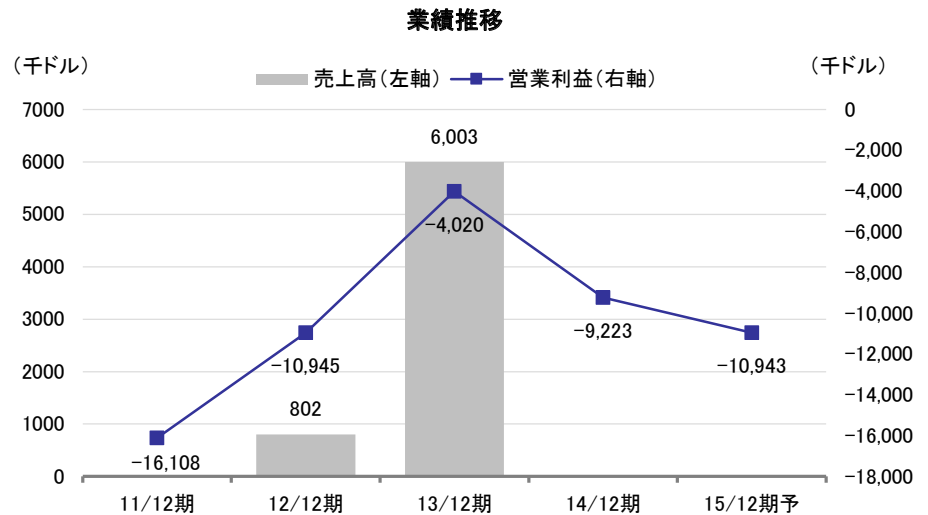
一方、MN-001 は、非アルコール性脂肪性肝炎 (以下、NASH) 適応では、現在フェーズ 2 の治験開始に向けた準備中、特発性肺線維症 (以下、IPF) 治療薬は、2015 年 10 月にフェーズ 2 の治験を開始している。NASH ではファストトラック指定を、IPF ではファストトラック及びオーファンドラッグ指定を受けており、いずれも開発ニーズの高い治療薬として注目されている。特に、NASH 治療薬はピーク時の市場規模が年間 350 ～ 400 億ドルになるとの予測もあるだけに、要注目と言える。

当面の業績は赤字が続く見通しだ。2015 年 12 月期は売上計上の予定がなく、営業損失で 10 百万ドル (前期は 9 百万ドルの損失) を見込んでいる。現在開発中の 2 つの化合物の治験が順調に進めば、フェーズ 2 の結果が出た段階でいずれかのライセンスアウト交渉を進める可能性があるものの、少なくとも 2 ～ 3 年は先になることが予想される。なお、資金繰りに関しては 8 月に米国で公募増資を実施し、約 16 百万ドルを調達している。8 月末時点の現金及び現金同等物は約 24 百万ドルとみられ、約 2 年分の運転資金を確保したことになる。今後もエクイティファイナンスを中心に事業資金を調達していく方針と考える。

■Check Point

- ・ 上市まで進んだ開発品はないため開発フェーズの企業
- ・ 社会的ニーズの高い治療薬やオーファンドラッグの開発が中心
- ・ 赤字経営が続くが事業資金は株式市場からすべて調達している

2015 年 10 月 22 日（木）



■ 事業概要

上市まで進んだ開発品はないため開発フェーズの企業

(1) 会社沿革

同社は 2000 年 9 月、医薬品候補品の導入・開発を目的に田辺製薬（株）（現・田辺三菱製薬<4508>）の米国子会社であるタナベリサーチ ラボラトリーズ U.S.A. の 100% 子会社として米国に設立された。設立 2 年目に、田辺製薬の経営方針転換により田辺製薬から独立し、事業を継続することとなった。

岩城氏は臓器移植専門の外科医師として 27 歳で渡米し、臓器移植のメッカである米ピッツバーグ大学では、最年少で教授となるなど医療現場で活躍していたが、外科医として助けられる患者数の限界を感じ、より広範な患者の治療に役立つような医薬品を開発していくという思いで同社を立ち上げ、現在に至っている。

2002 年に杏林製薬（株）（現・キョーリン製薬ホールディングス<4569>）より抗炎症剤の MN-001 をライセンス導入したのを皮切りに、中堅医薬品メーカーから有望と思われる医薬品のライセンス導入を行い、米国で開発を進めている。現在の開発化合物は 4 つで、合わせて 10 の適応領域において開発を進めている。まだ上市まで進んだ開発品はないため、安定的な収入はなく開発フェーズの企業となる。また、株式の上場は 2005 年で、まず大阪証券取引所ヘラクレス外国部（現・東証 JASDAQ）に上場を果たし、2006 年に米 NASDAQ 市場に上場している。

2015 年 6 月末の従業員数は 10 名で、うち研究開発部門が 5 名、管理・財務部門が 5 名といった構成となっている。医薬品の開発戦略に関しては、日米で小児科医師であった CMO（チーフ・メディカル・オフィサー）の松田和子（まつだかずこ）氏が中心となって進めている。同社の特徴は、医療現場での勤務経験のある人材が医師の視点から開発を進めていることにあり、実際の医療ニーズやトレンドなどを的確に判断できる点にある。

子会社は 3 社あり、2006 年に欧州での臨床開発を目的としたメディシノバ・リミテッド（ヨーロッパ）を、2007 年に日本・アジアでの事業展開、IR・PR 活動を目的としたメディシノバ製薬（株）をそれぞれ設立したほか、2009 年に神経疾患治療薬の開発を行っていた NASDAQ 上場の創薬ベンチャーの米アヴィジェンを完全子会社化している。

会社沿革

年月	主な沿革
2000 年 9 月	医薬品候補品の導入・開発を目的に、米カリフォルニア州に田辺製薬の子会社であるタナベ リサーチ ラボラトリーズ U.S.A. の 100% 子会社として設立（現在は資本関係なし）
2002 年 3 月	抗炎症剤の MN-001 を杏林製薬（株）よりライセンス導入
2002 年 6 月	腫瘍血流遮断剤の MN-029 を英アンジオジーンよりライセンス導入
2004 年 2 月	β_2 レセプター作動剤の MN-221 をキッセイ薬品（株）よりライセンス導入
2004 年 10 月	抗炎症剤の MN-166 を杏林製薬（株）よりライセンス導入
2005 年 2 月	大阪証券取引所ヘラクレス外国部に株式上場
2006 年 12 月	米 NASDAQ 市場上場、英国に子会社メディシノバ・リミテッド（ヨーロッパ）を設立
2007 年 1 月	日本に子会社メディシノバ製薬（株）を設立
2009 年 12 月	遺伝子治療や神経疾患治療薬の開発を行うアヴィジェンを子会社化

(2) ビジネスモデルと現在の開発ポートフォリオ

同社のビジネスモデルは、主として日本の中堅製薬企業から、新たな適応領域の可能性があると思われる医薬品に関して、主に欧米での開発販売に関するライセンスを導入し、市場規模の大きい米国で開発を進め、収益化していくことを基本としている。また、ライセンス導入した医薬品に関して、自社で臨床開発から上市まで進めるケース、治験のフェーズ 2 が終わった段階で提携先企業にライセンスアウトし、契約一時金やマイルストーン収入、ロイヤリティ収入を得るケースに分けられる。どちらを選択するかは、開発パイプラインの状況やその時の財務状況などによって判断していく格好となるが、将来的にはグローバルに展開する製薬企業になることを目標としている。

日本の製薬企業の中で、海外で医薬品の開発を積極的に行う体力やスキルがあるのは売上規模で 5,000 億円を超える大手 5 社程度に限られており、中堅以下の製薬企業では、自社で開発を進めるよりも他社にライセンス供与することで収益機会を得るといった戦略を選択するケースが多い。同社ではこうした中堅製薬企業が保有している医薬品の中から、有望な製品を探索してライセンス導入を行い、市場規模の大きい米国市場で有効と考えられる適応領域を見出しながら開発を進めている。

このように、当初の適応領域とは違った用途で需要が拡大する医薬品の例は多く、代表的なものとして、アスピリン（解熱鎮痛薬→血栓予防薬、心筋梗塞予防薬）、ミノキシジル（高血圧薬→毛髪再生薬）、パイアグラ（狭心症治療薬→男性機能改善薬）などがある。

現時点の開発化合物は 4 つで、これまで合わせて 10 の適応領域において開発を進めてきたが、このうち 2 つの化合物（MN-166、MN-001）に経営資源を集中し、今後の開発を進めていく方針を決定している。さらに、これまでの開発プログラムの中で、FDA からオーファンドラッグ指定を受けたものが 2 件、ファストトラック指定を受けたものが 3 件となっており、創薬ベンチャー企業の中では突出した指定承認件数となっている。



メディシノバ

4875 東証 JASDAQ

2015 年 10 月 22 日（木）

開発パイプライン

開発コード / 化合物名 (導入先)	適応症	進捗状況	備考	連携機関
MN-166 / イブジラスト (杏林製薬)	進行型多発性硬化症	P2	2015 年 5 月 P2b 治験の患者登録完了 (250 人)。2017 年に治験完了予定。国立衛生研究所 (NIH) より 11.3 百万ドルの助成金。	クリーブランド・クリニック、NeuroNEXT、国立神経疾患脳卒中研究所
	ALS (筋萎縮性側索硬化症)	P2	カロライナ神経筋 ALS・MDA センターで P2 治験。2015 年 12 月に中間解析結果を学会で発表予定。	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
	クラッペ病治療薬	P2 準備中	2015 年 6 月に FDA がオーファンドラッグとして指定。	
	覚せい剤 (メタンフェタミン) 依存症	P2	UCLA にて P2 治験を 2013 年より開始、国立薬物濫用研究所 (NIDA) から助成金。FDA が 2013 年 2 月にファストトラック指定承認。	UCLA、NIDA
	オピオイド (ヘロイン、処方鎮痛剤) 依存症	P2	コロンビア大学及びニューヨーク州精神医学研究所 (NYSPI) にて 2012 年より P2 治験開始、NIDA から追加助成金。4 年間でさらに 11 百万ドルの追加助成金を得る可能性あり。	コロンビア大学、NYSPI、NIDA
	アルコール依存症	P2	UCLA にて P2a 治験を 2014 年より開始、2015 年 6 月に患者登録完了。国立アルコール濫用 / 依存症研究所 (NIAAA) から助成金。	UCLA、NIAAA
MN-001 / タイベルカスト (杏林製薬)	非アルコール性脂肪性肝炎 (NASH) 治療薬	P2 準備中	2015 年 1 月、FDA より P2a 治験 (非盲検、20 名) の承認取得。2015 年 4 月、ファストトラック指定承認。高中性脂肪血症を伴う NASH 患者を対象とする P2 治験 (非盲検、20 名) も 2015 年 7 月に承認。	
	特発性肺線維症 (IPF) 治療薬	P2	FDA が、2014 年 10 月にオーファンドラッグに指定、2015 年 9 月にファストトラックに指定。2015 年 10 月、P2 治験開始。	ペンシルベニア州立大学
MN-221 / ベドラドリン (キッセイ薬品工業)	気管支喘息急性発作	P2 終了	2012 年、P2 治験を終了。プラセボに対し、改善は認められるも、統計的有意差は認められず。標準治療との併用で入院率は改善。FDA との協議により、入院率の減少などを主要評価項目とすべきとの助言を得る。	
MN-029 / デニブリン (アンジオジーン)	悪性腫瘍	P1 終了	P1 治験を終了 (難治性がん患者 34 人、進行性・転移性がん患者 20 人)。	

出所：同社資料よりフィスコ作成

オーファンドラッグ（希少疾患用医薬品）とは

米国では、米国内の患者数が 20 万人未満の疾病、または 20 万人以上でも開発及び販売にかかる費用の回収が困難と思われる疾病を適応とする薬剤または生物製剤が、安全で効果的であると認定された場合に指定が行われる。オーファンドラッグ指定を受けると 7 年間の排他的先発販売権が与えられるほか、米国政府から補助金が得られたり、治験実施計画書の審査に対して優遇措置が受けられる。

ファストトラック（優先承認審査制度）とは

深刻な疾患に対する治療薬の開発を促進し、承認審査を早め、満たされていない医薬ニーズに対応するための制度。指定を受けるには、1) 治験対象となる疾患が深刻または生命を脅かす危険性がある、2) 現在の治療法を超える治療効果を満たす可能性がある、ことが条件となっている。指定された医薬品は、以下の特例のうち一部またはすべてが適用される。

- 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・・・臨床上の利益を予測することができる「妥当な代替の評価項目」を根拠として、迅速な承認を得ることができる。
- 逐次承認・・・新薬承認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、完成した項目から順次提出し、審査を受けることができる。
- 優先審査・・・FDA は提出から 6 ヶ月間以内に審査を完了することを目指す。

■ 開発パイプラインの動向

イブジラストは 6 つの適応領域において開発を進める

(1) MN-166（イブジラスト）

MN-166 は、気管支喘息及び脳梗塞発症後の治療薬として杏林製薬が 1989 年に日本で上市した医薬品で、すでに 320 万人以上の患者に処方されており、安全性に関しては良好な医薬品となっている。同社は、2004 年に多発性硬化症を適応疾患として独占的・全世界（日本、中国、韓国、台湾を除く）での再許諾可能な開発販売のライセンス（点眼薬を除く）を取得し、現在は中枢神経系疾患における 6 つの適応領域において開発を進めている。各開発動向は以下のとおり。

○ 進行型多発性硬化症

多発性硬化症は寒いところに住む 20 ～ 40 代の若い白人に多い病気で、日本では非常に少なく、厚生労働省では難病指定されている疾病である。症状としては、手足のしびれ、目が見えなくなる、失禁、歩行困難などを引き起こす。これは神経線維を取り巻くミエリン（電線を被覆する絶縁体のようなもの）が炎症で壊れ、神経伝導がうまく伝わらなくなることによって発症すると考えられている。「進行型」とは、症状が回復することなく時間経過につれて悪化するタイプを指す。多発性硬化症の患者数は世界で約 210 万人、米国で 50 ～ 80 万人、日本では約 1 万人と言われており、このうち約半数が時の経過とともに進行型となる。

現在、治療薬としては β インターフェロンなどの注射薬や経口薬など複数の医薬品が上市されており、世界市場で 1 兆 5,000 億円の規模となっている。ただ、いずれも多発性硬化症の再発抑制や寛解※期間を延長する効果はあるが、進行型多発性硬化症には効果がないものが多く、多発性硬化症治療薬全般に関して言えることであるが、効果があつたとしても副作用が非常にきつく、安全かつ治療効果のある医薬品がないのが現状となっている。

MN-166 の開発状況に関しては、2013 年より米国でフェーズ 2 の治験を開始しており、2015 年 5 月に予定していた 250 人の患者登録が完了し、2017 年夏頃に治験が完了する予定となっている。同治験に関しては NIH より 11.3 百万ドルの助成金が得られており、クリーブランド・クリニックや NeuroNEXT（NIH の下部組織）が中心となって、全米 28 ヶ所の医療施設で治験が行われている。

MN-166 には、病気の進行を遅らせる、またはストップさせる効果が期待されているほか、再発寛解型でも寛解期間を延長する効果が期待できるため、治験結果が注目される。結果が良好であれば、既存薬が副作用の強い薬剤しかない中、安全性の高い経口薬であるだけに市場の注目度が一気に高まる可能性が高い。

○ ALS（筋萎縮性側索硬化症）

ALS とは、脳及び脊椎の神経細胞にダメージを及ぼす進行性の神経変性疾患のこと。症状としては、手足など特定の筋肉を動かすための脳からの指令が何らかの理由で届かなくなることによって筋肉が萎縮し弱まっていき、その結果、随意運動が不自由となる。病状末期には全身の運動麻痺に至り、人工呼吸器などの補助が必要となる。診断されてからの平均生存期間は 2 ～ 5 年で、米国 ALS 協会によれば、米国内の患者数は約 3 万人、毎年 5 ～ 6 千人が新たに診断されていると言う。また、日本では約 9,000 人となっている。現在承認されている治療薬としてはリルゾールがあるが、その効果は余命を数ヶ月延ばすことができるといった限定的なものであり、効果の高い治療薬の開発が望まれている。

2015 年 10 月 22 日（木）

MN-166 の開発状況としては、2014 年 10 月よりカロライナ・ヘルスケアシステムの神経科学研究所・神経筋 ALS-MDA センターにてフェーズ 2 の治験を開始（60 人予定、2015 年 2 月 30 人登録済み、期間は合計で 12 ヶ月間）、2015 年 4 月の安全性に関する中間解析結果で安全性には問題がなかったことを発表している。2015 年 12 月には有効性についての中間解析結果を米国の学会で発表する予定（最初の 30 人の解析結果）となっており、その動向が注目される。また、2015 年 9 月には新たに酸素吸入器（NIV）のサポートを受けている進行 ALS 患者も治験対象に加えるプロトコル修正が FDA より承認され、新たに 60 名を登録して治験を行っていく予定となっている。今後の治験スケジュールは患者登録の進捗に依存するため、フェーズ 2 の治験期間としてはまだ未確定となっている。

○クラッペ病治療薬

クラッペ病とは遺伝性の神経変性疾患で、米国では 10 万人に 1 人の割合で発症する希少疾病である。現在のところ根治療法がなく、症状緩和のための補助的な治療のみが行われている。発症時期により早期乳児型、晩期乳児型、若年発症型、成人発症型の 4 つのタイプに分けられているが、約 9 割は早期乳児型で、生後 6 ヶ月以内に発症するタイプである。初期症状として、易刺激性（些細なことで過度に号泣するなど）、手足のけいれん、神経反射の欠如、授乳困難などが見られ、病気の進行とともに筋力の低下、呼吸困難、失明などとなり、多くは 2 歳までに死に至る。早期乳児以降に発症するタイプは病気の進行が比較的緩やかで、生存期間も長くなる傾向にある。

クラッペ病も神経変性疾患の一種であり、多発性硬化症や ALS と同種の疾病であることから、開発プログラムに組み入れた。動物モデルでの治験では、中枢神経で生じる脱髄の軽減、神経症状・発育などの悪化の軽減といった効果が確認されている。現在は、フェーズ 2 に向けた準備を進めている段階だが、2015 年 6 月に FDA よりオーファンドラッグ指定を受けている。

クラッペ病に関しては、希少疾病で市場規模も大きくないが、開発を進めるもう 1 つの狙いとして FDA が発行する「優先審査バウチャー」の取得要件に当てはまる可能性が高いことが挙げられる。「優先審査バウチャー」は 2009 年に FDA が創設した制度で、開発費用に比べて市場規模が見込めない希少疾病などの治療薬の開発促進を目的としたもの。一定要件（小児用のオーファンドラッグ、または熱帯病）を満たした新薬の製造販売承認を取得した企業に対して付与される。同バウチャーを取得した企業は、どのような開発品でも 1 品目に限って承認審査を優先的に行うことが可能となる（審査期間が 10 ヶ月間から 6 ヶ月間に短縮）ほか、他の企業に売却することもできる。新薬の開発競争が激しい中で優先審査を受けられるメリットは大きく、「優先審査バウチャー」の価値は 100 ～ 300 億円とも言われている。クラッペ病での製造販売承認を取得すれば、それだけで 100 ～ 300 億円の価値が生じることになるだけに、今後の開発動向が注目される。

○覚せい剤（メタンフェタミン）依存症

MN-166 は覚せい剤依存症の患者を対象とした治療薬として、UCLA にてフェーズ 2 の治験（140 人予定）を 2013 年より行っている。薬物依存症患者は体内の薬物が減少すると「離脱症状」が生じ、再度薬物を使用する循環に入ることが知られているが、「離脱症状」が生じる原因として、脳内のグリア細胞の活性化が関与していることが判明している。グリア細胞の働きを抑制する効果がある MN-166 による治験に関しては国立薬物濫用研究所（NIDA）からも助成金が出ており、また、2013 年 2 月には FDA からファストトラックの指定も受けるなど、その治療効果にかかる期待は大きい。米国でのメタンフェタミン使用者数は約 44 万人に上ると言われており、経済損失は年間で約 234 億ドルにも上ると言われているためだ。

ただ、治験の進捗状況は思うように進んでいないのが難点となっている。治験対象者が治療希望の覚せい剤中毒者に限定されているほか、3 回 / 週 × 12 週間の外来通院による治験であるため、被験者が途中で脱落してしまうケースも多いためだ。ただ、既に実施済みのフェーズ 1b 治験では治療効果が現れている患者も実際に出ていることから、今後の動向が注目される。

○オピオイド（ヘロイン、処方鎮痛剤）依存症

オピオイド依存症患者を対象とした治験は、コロンビア大学及びニューヨーク州精神医学研究所（NYSPI）にて 2012 年よりフェーズ 2（24 人予定）の段階で実施されている。NIDA から助成金を得て治験が進んでいるが、今後 4 年間でさらに 11 百万ドルの追加助成金を得る可能性があるとの通知も受けており、覚せい剤依存症と同様、期待の大きい治験となっている。米国での依存症患者は約 190 万人、うちヘロイン依存患者は約 51.7 万人、経済損失は年間 500 億ドル超と言われている。

治療薬としては複数上市されており、世界で 12 億ドル（2011 年時点）の規模となっているが、中毒性・安全性の面から医療現場ではあまり処方されていないのが現状となっている。

○アルコール依存症

アルコール依存症の治療薬として、UCLA にてフェーズ 2a の治験を 2014 年より開始し、2015 年 6 月に患者登録を完了している（24 人）。国立アルコール濫用・依存症研究所（NIAAA）から助成金を得て治験を進めている。米国のアルコール摂取障害患者数は約 1,730 万人で、経済損失は年間 2,240 億ドルと言われている。

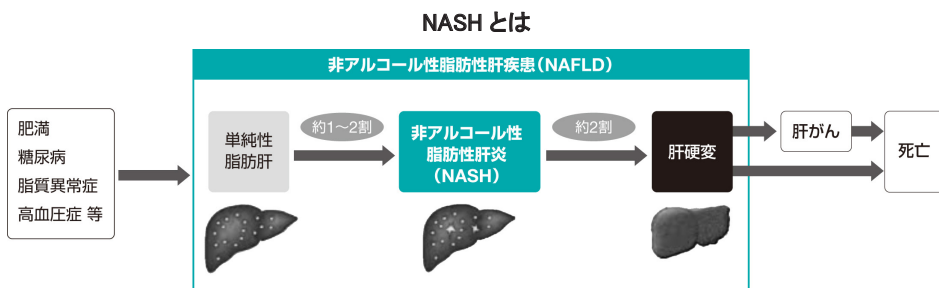
タイペルカストは 2 つの適応領域において開発を進める

(2) MN-001（タイペルカスト）

MN-001 は杏林製薬が経口タイプの喘息薬として開発したもので、抗線維化作用・抗炎症効果も持つ。2002 年に独占的・全世界（日本、中国、韓国、台湾を除く）での再許諾可能な開発販売のライセンスを取得した（点眼薬を除く）。現在、2 つの適応領域において開発を進めており、その動向は以下のとおりである。

○非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）治療薬

非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）は近年、メタボリックシンドローム、肥満、糖尿病などの合併疾患として認識されるようになった肝臓疾患で、過度のアルコール摂取がないにもかかわらず、アルコール性肝障害と類似した病気の進行をたどり、肝硬変や肝細胞がんに至る病気である。非アルコール性脂肪性肝疾患（NAFLD）の患者数は米国で約 3,000 万人、このうち肝細胞にダメージ（炎症、線維化、結節など）がある脂肪肝を NASH と呼び、850 万人以上の患者がいる（成人有病率 12%）。NASH 患者に肝臓の線維化が進むと通常は元に戻らず、肝硬変に進行することになる。NASH 発症の機序はまだ解明されていないほか、FDA に認可されている治療薬もない。



2015 年 10 月 22 日（木）

MN-001 には抗線維化作用があることが分かっており、NASH から肝硬変に進行するのを抑制する効果があるほか、動物実験では線維化を改善する効果を示したデータも報告されている。

現在の開発状況としては、2015 年 1 月に FDA より臨床試験実施申請の承認を取得し、治験の準備を進めている段階にある。2015 年 4 月には FDA より、肝線維化を認める NASH 治療適応に対するファストトラックに指定されており、治験準備段階においても各種助言を迅速・頻繁に受けられることとなっている。また、2015 年 7 月には高中性脂肪血症を伴う NASH 患者を対象としたフェーズ 2 治験（20 名予定）プロトコルの承認も取得し、現在治験開始に向けて準備を進めている段階にあり、同プロトコルの治験が最初に開始される見込みとなっている。治験期間としてはスクリーニング期間（最長 4 ヶ月間）と治療期間（12 週間）を合わせて約 7 ヶ月間程度となっている。

NASH に関しては、患者数も今後世界的に拡大していくことが予想されており、ピーク時の NASH 治療薬の市場規模を 2025 年までに 350 ～ 400 億ドルと試算する調査機関もあるなど、医薬品業界の中では最も注目されている大型治療薬の 1 つとなっている。このため開発競争も激しく、2014 年には米国のベンチャーであるインターセプト・ファーマシューティカルズがフェーズ 2 を早期に終了し、良好な結果を得たと発表している。MN-001 に関しては動物実験において良好なデータ結果を得ており、今後の治験進捗動向が注目される。

○特発性肺線維症（IPF）治療薬

特発性肺線維症（IPF）とは、様々な原因により肺（肺胞・間質）が炎症を起こし、線維化することで肺が硬化・縮小してしまい、肺機能の働きが著しく低下する病気の中で、症状としては息切れや乾いた咳が始め、症状が進行すると呼吸困難となり、酸素吸入が必要となる。現在のところ根治療法がなく、症状を軽減する薬が複数ある程度。患者の 3 分の 2 は、診断からの生存期間が 5 年以内となっている。米国での患者数は約 13 万人で、希少疾患である。

MN-001 は抗線維化作用があることから IPF に対する治療効果が期待されており、FDA が 2014 年 10 月にオーファンドラッグに指定したのに続いて、2015 年 9 月にはファストトラックに指定されている。2015 年 2 月にフェーズ 2 治験（15 名予定）のプロトコル承認取得を得て 2015 年 10 月にペンシルベニア州立大学にて治験を開始した。同治験では中等度から重度の IPF 患者を対象としており、2015 年秋から患者登録が始まる見込み。スクリーニング期間として最長 3 ヶ月間、治療期間として 12 ヶ月間を予定している。

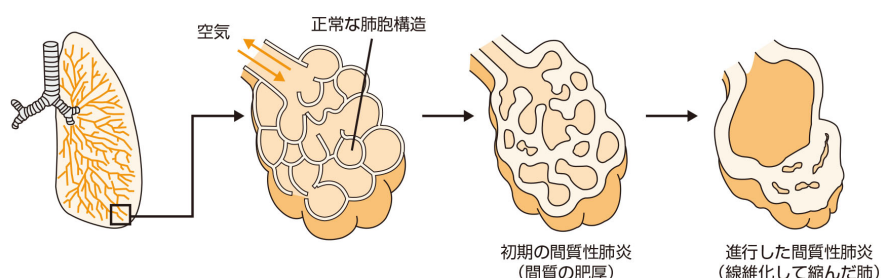
IPF 治療薬を開発し、欧州と日本で承認を取得した米創薬ベンチャーのインターミューンが、2014 年 8 月に 83 億ドル（約 8,600 億円）でスイスの製薬大手ロシュに買収されたが、オーファンドラッグを開発する企業も、その開発状況によって企業価値が大きく上昇する可能性があることの好例と言える。

肺の線維化とは

参考資料

「一般社団法人日本呼吸器学会」 http://www.jrs.or.jp/modules/citizen/index.php?content_id=20

■間質性肺炎の進行による肺の異常



2015 年 10 月 22 日（木）

■業績見通しと財務状況について

社会的ニーズの高い治療薬やオーファンドラッグの開発が中心

(1) 2015 年 12 月期の連結業績見通し

2015 年 12 月期の連結業績は、売上高の計上予定がなく、営業損失で 10 百万ドルを見込んでいる。前述したとおり、売上高に関しては開発プログラムの中で上市した製品がなく、また、ライセンスアウトする予定も当面はないことから、計上見込みはない。一方、費用としては、研究開発費及びパテント費や一般管理費などほぼ前期並みでの推移を見込んでいる。売上高が見込める時期としては、現在の開発プログラムがフェーズ 2 の治験が終了し、その結果が良好だった場合にライセンスアウト交渉に入る可能性があるが、早くても来期以降となる見通しだ。

また、MN-166、MN-001 の 2 つの開発化合物の 8 つの適応領域で開発を進めており、いずれか一方をライセンスアウトする可能性を示唆しているが、同社は最終的にグローバルな製薬企業になることを目標としており、全ての権利をライセンスアウトすることは現状想定していない。

営業損失については、開発プログラムの件数や治験の状況にもよるが、当面、最低でも 10 百万ドル前後の水準が続くものと予想される。同社の場合、社会的ニーズの高い治療薬やオーファンドラッグの開発が中心となっており、NIH など国の機関から助成金を得ている案件が多いこと、開発業務受託機関（CRO）を使わず直接、医療機関やアカデミアと共同で治験を進めていることもあり、治験費用を通常より大幅に低く抑えることができているのが特徴となっている。

連結損益計算書

（単位：千ドル）

	11/12 期	12/12 期	13/12 期	14/12 期	15/12 期 （予）
売上高	-	802	6,003	-	-
（対前期比）（%）	-	-	648.5%	-	-
研究開発及びパテント費	7,784	5,013	3,365	3,259	
一般管理費	8,323	6,734	6,657	5,963	
営業利益	-16,108	-10,945	-4,020	-9,223	-10,943
税引前当期純利益	-17,722	-10,950	-4,024	-9,199	-10,943
当期株主に帰属する当期純利益	-17,734	-10,961	-4,028	-9,195	-10,943



メディシノバ

4875 東証 JASDAQ

2015 年 10 月 22 日（木）

赤字経営が続くが事業資金は株式市場からすべて調達している

(2) 財務状況

2015 年 6 月末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 2 百万ドル減少の 24 百万ドルとなった。事業運転資金として現金及び現金同等物が 3 百万ドル減少したことが主因となっている。また、累積損失は 315 百万ドルとなった。

同社は創業来、開発フェーズにあるため赤字経営が続いているが、有利子負債はなく事業資金は株式市場からすべて調達している。米 NASDAQ 市場では合計 1 億ドルのエクイティファイナンス（公募やワラントなど）の発行登録枠を設けており、同制度を使つての各種エクイティファイナンスにより事業資金を調達している。2015 年 8 月には公募増資で 1 株 3.5 ドル、500 万株を発行し（公募後発行済株式数は約 30 百万株）、16.275 百万ドルを調達した。これにより、8 月末の現金及び現金同等物は約 24 百万ドルになったとみられ、事業活動資金としては約 2 年分が確保できたことになる。今後も開発進捗に応じて、エクイティファイナンスを実施し、資金調達を行っていく可能性が高い。なお、今回の公募増資によって米国最大の投資信託会社であるフィデリティが同社株式の 11.73% を保有する筆頭株主となっている。

要約連結貸借対照表

（単位：千ドル）

	12/12 期	13/12 期	14/12 期	15/12 期 2Q 末	増減額
流動資産	4,422	14,382	12,132	9,602	-2,530
現金及び現金同等物	4,010	6,700	11,669	8,580	-3,088
のれん	9,600	9,600	9,600	9,600	-
仕掛研究開発費	4,800	4,800	4,800	4,800	-
JV 投資	667	680	684	679	-5
有形固定資産	78	82	44	26	-18
総資産	19,568	29,546	27,273	24,719	-2,554
負債	4,688	4,120	5,262	4,774	-488
有利子負債	-	-	-	-	-
純資産	14,879	25,425	22,010	19,945	-2,065
累積損失	-297,320	-301,386	-310,582	-315,083	-4,501
経営指標 （安全性）					
流動比率	426.1%	3,123.7%	761.2%	867.4%	
自己資本比率	76.0%	86.1%	80.7%	80.7%	

ディスクレーマー（免責条項）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。“JASDAQ INDEX”の指数値及び商標は、株式会社東京証券取引所の知的財産であり一切の権利は同社に帰属します。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、その内容及び情報の正確性、完全性、適時性や、本レポートに記載された企業の発行する有価証券の価値を保証または承認するものではありません。本レポートは目的のいかんを問わず、投資者の判断と責任において使用されるようお願い致します。本レポートを使用した結果について、フィスコはいかなる責任を負うものではありません。また、本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行動を勧誘するものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業との電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、資料作成時点におけるものであり、予告なく変更する場合があります。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、事前にフィスコへの書面による承諾を得ることなく本資料およびその複製物に修正・加工することは強く禁じられています。また、本資料およびその複製物を送信、複製および配布・譲渡することは強く禁じられています。

投資対象および銘柄の選択、売買価格などの投資にかかる最終決定は、お客様ご自身の判断でなさるようお願いいたします。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

株式会社フィスコ