

2020年2月26日

会社名	株式会社メドレックス (コード 4586 : マザーズ)
住所	香川県東かがわ市西山431-7
代表者名	代表取締役社長 松村米浩
問合せ先	経営管理部長 藤岡健
	電話番号 03-3664-9665

#### <マザーズ>投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

#### 開催状況

開催日時	2020年2月26日 10:00~11:00
開催方法	対面による実開催
開催場所	日本証券アナリスト協会 兜町平和ビル2階 セミナールーム 東京都中央区日本橋兜町3-3
説明会資料名	株式会社メドレックス 2019年12月期 決算説明資料

#### 【添付資料】

1. 投資説明会において使用した資料



# 株式会社メドレックス

2019年12月期  
決算説明資料

2020年2月26日



# 1. 2019年12月期 事業ハイライト、決算概要

---

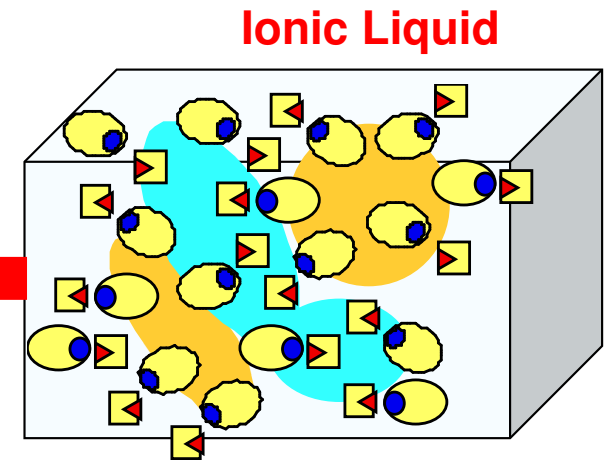
---

# Key Technologyと開発パイプライン

## ●イオン液体を活用した経皮吸収型製剤技術

(ILTS<sup>®</sup> : Ionic Liquid Transdermal System)

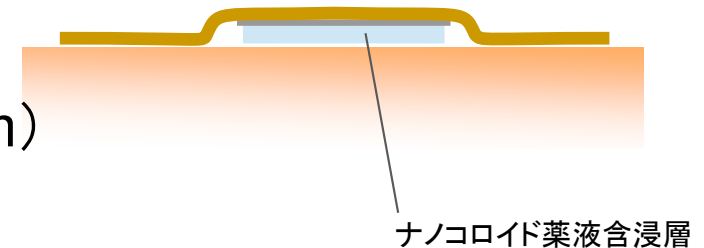
- MRX-4TZT
- MRX-5LBT
- MRX-9FLT
- MRX-1OXT



## ●ナノコロイドを活用した経皮吸収型製剤技術

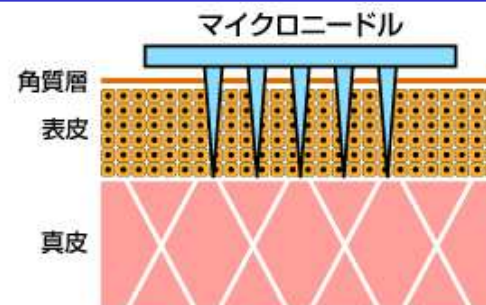
(NCTS<sup>®</sup> : Nano-sized Colloid Transdermal System)

- MRX-7MLL



## ●マイクロニードルアレイ

### ➤ 貼るワクチン



## 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→	製剤開発完了、米国開発着手					
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→		非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中				

## 2019年12月期 事業ハイライト (1)

### <CPN-101(MRX-4TZT)>

- P1b試験成功(2019.9)
  - 反復投与試験において事前規定基準をクリアし、開発マイルストーン\$1M受領

### <MRX-5LBT>

- 増資により、FDAから要求された試験を実施する資金を確保(2019.5)
  - 貼付力評価(2019.7)、皮膚刺激性(2019.12)、運動による影響(2020.1)、光アレルギー(2020.2)等を実施し、NDAまでに要求された全ての臨床試験が完了
    - 各臨床試験において、新薬承認要件を満たす
    - 先行指標品Lidoderm®と比べて優れた結果
- 「皮膚刺激性が少なく」「貼付力に優れ」「運動時においても貼付力を保持できる」

## 2019年12月期 事業ハイライト (2)

### <MRX-9FLT>

- 製剤開発完了し、米国開発に着手

### <MRX-10XT>

- 開発pending
  - オピオイド系新薬についての製薬会社の開発・導入意欲が大きく減退
  - 新薬承認取得しないと提携・事業化は困難と判断

### <MRX-7MLL>

- 非臨床試験完了
- 商業生産までを見越した製造委託先を選定中

## 2019年12月期 事業ハイライト (3)

---

---

### <第一三共との共同開発>

- 非臨床試験において期待した結果を得られず、共同開発契約終了(2019.8)

### <武田薬品工業への技術ライセンス>

- 評価基準を満たすことができず、ライセンス契約解消(2019.10)



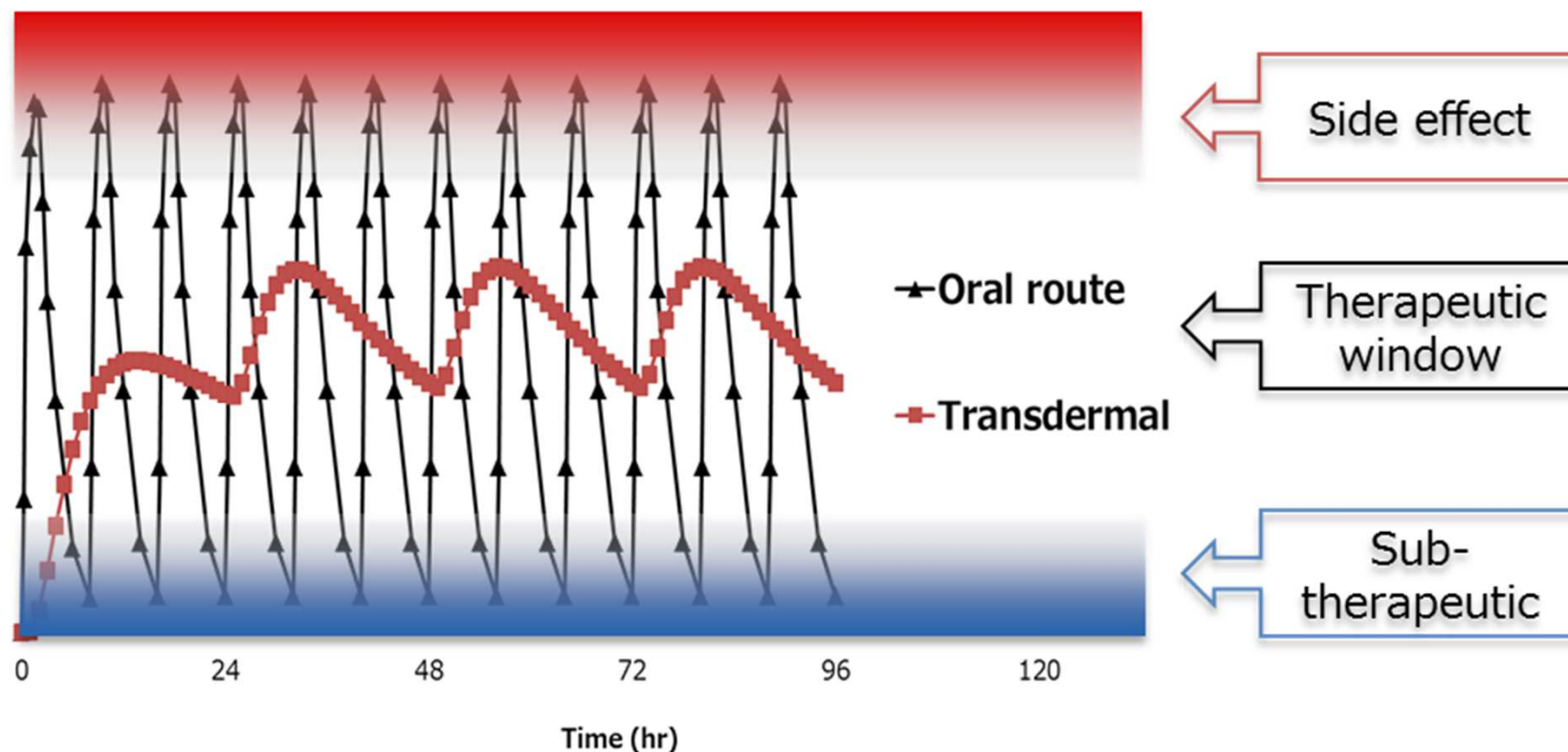
# 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→		製剤開発完了、米国開発着手				
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→		非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中				

# 痙性麻痺治療薬 “CPN-101 (MRX-4TZT)”



- 中枢性筋弛緩薬であるチザニジンにILTS®を用いて経皮製剤化。
  - 経口剤と比して期待される利点：有効血中濃度の持続性、副作用の低減（眠気等）
  - 筋弛緩薬の米国市場規模：\$ 807 million in 2016



# CPN-101 (MRX-4TZT) : 開発・提携の状況

- Cipla USAと世界的な開発・販売ライセンス契約(東アジア除く)を締結(2017.4)
  - 契約一時金、開発・販売の進捗に応じたマイルストーン収入として最大\$30M
  - 上市後の売上高に応じた段階的なロイヤルティ収入
- **米国でのP1b試験:成功**(2019.9)
  - 反復PK試験において事前に規定していた基準をクリアし、開発マイルストーン\$1M受領確定
- **マイルストーン条件の一部変更**(2019.9)
  - 開発マイルストーンの一部を分割&後ずらし
  - 当社にとって通常の経済合理性には沿わないが、創薬ベンチャーの事業進捗の順調さ/企業価値向上と直結するわけではない「マザーズ上場廃止基準:年商1億円」に対するリスクヘッジ対応
- 2020年にCipla主導でP2(PD: Pharmacodynamics)試験を実施予定

## 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→		製剤開発完了、米国開発着手				
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→		非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中				

# MRX-5LBT : ターゲット

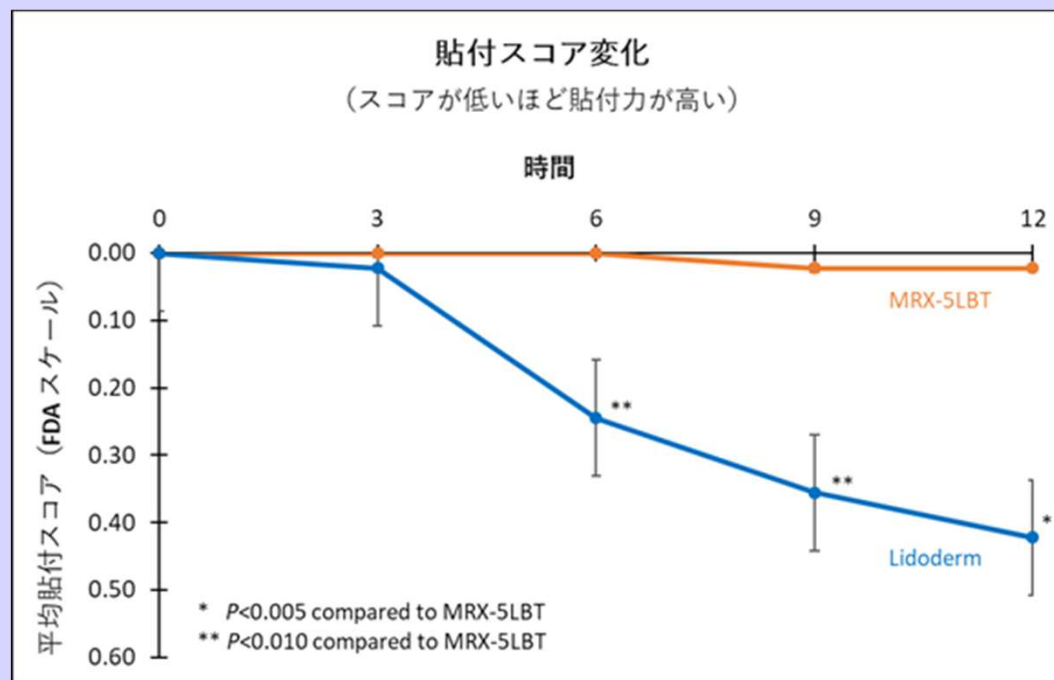
- ブロックバスターであったLidoderm<sup>®</sup> (リドカインパップ剤、ピーク時売上 \$1 billion超) の市場がターゲット
  - 適応症: 帯状疱疹後の神経疼痛
  - 米国リドカイン貼付剤市場: 505億円 in 2018 (出所: IQVIA)
- Lidoderm<sup>®</sup> (+ Generic製品) との差別化要因
  - 少量(30%弱)のリドカインで同等の効果
  - テープ剤ゆえの使い勝手の良さ
  - 「皮膚刺激性が少なく」「貼付力に優れ」「運動時においても貼付力を保持できる」

# MRX-5LBT：開発の状況（1）

- Lidoderm®との**検証的な比較臨床試験：成功**（2018.6）
  - 505b2開発過程の中で最も重要な指標であるLidoderm®との**生物学的同等性**を示した（2018.6）
- FDAとの面談会議において、慢性疾患治療薬として長期に亘り連続使用される可能性が十分あることより、長期の安全性を確認する試験を中心に想定以上の臨床試験・非臨床試験等を要求された（2018.11）
  - 増資により、FDAから要求された試験を実施する資金を確保（2019.5）

## MRX-5LBT：開発の状況（2）

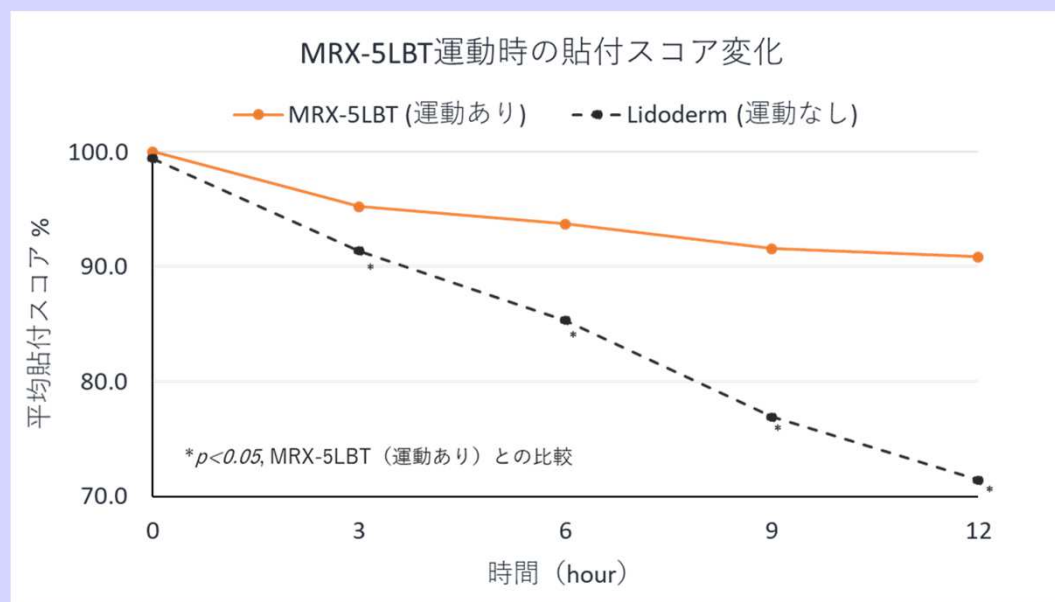
- 貼付力評価試験：**成功**（2019.7）
  - NDA要件を満たし、**Lidoderm®**と比べて優れた貼付力



- 皮膚刺激性試験：**成功**（2019.12）
  - NDA要件を満たし、**Lidoderm®**より皮膚刺激が少ない

## MRX-5LBT：開発の状況（3）

- 運動による影響（貼付力評価）試験：**成功**（2020.1）
  - **発汗を伴う運動時でも十分な貼付力を示す**



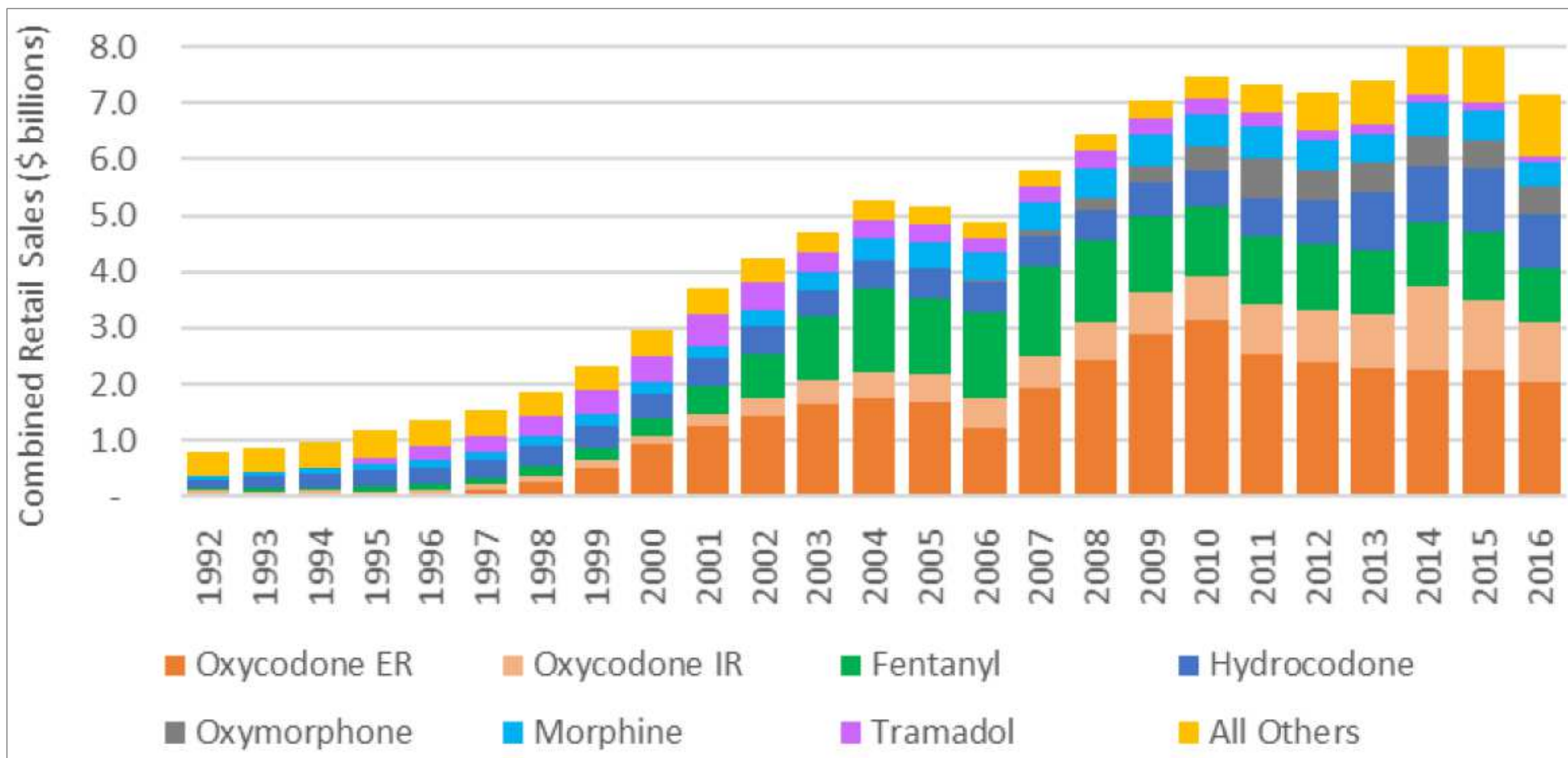
- 先行指標製品であるLidoderm<sup>®</sup>より「**皮膚刺激性が少なく**」「**貼付力に優れ**」「**運動時においても貼付力を保持できる**」
- 全ての臨床試験が完了（2020.2）
- 2020年に新薬承認申請（NDA）見込み



## 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→		製剤開発完了、米国開発着手				
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→		非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中				

# 米国オピオイド市場規模

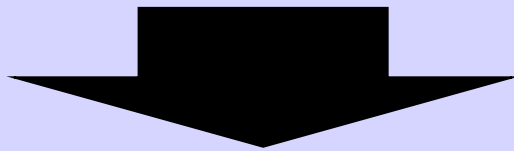


(出所) FDA “FDA Analysis of Long-Term Trends in Prescription Opioid Analgesic Products: Quantity, Sales, and Price Trends” (March 1, 2018)

MRX-1OXTがターゲットとするオピオイド徐放性製剤の米国市場規模は、2016年時点で、米国オピオイド市場約7500億円のうちの60%、約4500億円程度と見込まれる。(\$=¥106)

# MRX-1OXT：開発の状況

- 米国オピオイド市場において最大シェアを占める薬物であるオキシコドンにILTS®を用いて経皮製剤化。
  - 1日2回経口投与(現行最大シェア)vs. 1日(or 3日)1回経皮投与
  - オピオイド乱用・誤用の抑制・防止を目的とした、独自の製剤技術“AMRTS®”
- 米国での臨床第I相試験の結果判明(2018.2)
  - 疼痛治療に十分な血中薬物濃度を実現できる可能性大
- しかし、オピオイド乱用について製薬会社に対する巨額訴訟が相次ぎ、**オピオイド系新薬についての製薬会社の開発・導入意欲が大きく減退**



- **新薬承認取得しないと提携・事業化することは困難と判断**
  - **新薬承認取得可能性がより高く、開発費小のMRX-9FLTの開発を優先させる**

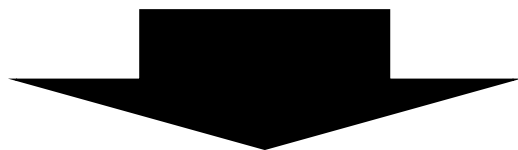
## 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→	製剤開発完了、米国開発着手					
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→		非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中				

## MRX-9FLT：フェンタニル貼付剤（中枢性鎮痛）

---

- フェンタニルは、オピオイドの一種で医療用麻薬に指定されており、重度の急性疼痛、慢性疼痛、癌性疼痛の緩和に、主に貼付剤として使用されている。
- 既存のフェンタニル貼付剤は、使用後の貼付剤を幼児・小児が誤って嚙んだり貼付したりすることで死亡する誤用事故が報告されている。



- MRX-9FLT：貼付剤における誤用事故を抑制・防止する当社の独自技術を適用した、新規のフェンタニル貼付剤
  - 2019年5月の面談会議において、FDAは、フェンタニル貼付剤における幼児・小児の誤用事故防止は重要で価値のあるゴールとの見解を示す
- 米国におけるフェンタニル貼付剤市場は、2018年において340億円
  - 誤用事故防止機能という高付加価値化による市場奪取・拡大を狙う
- 2020年にIND申請、pilot PK試験を実施予定

## 開発パイプライン（第一ターゲット：米国市場）

製品名・ 開発コード	製剤開発	非臨床	Ph- I	Ph- II	Ph- III	承認申請	上市
CPN-101(MRX-4TZT) 痙性麻痺治療貼付剤 (チザニジン transdermal, ILTS®)	→			2017年4月 Cipla USAと開発・販売ライセンス契約締結（東アジア除く） 2019年9月 P1b試験成功、P2試験準備中			
MRX-5LBT 帯状疱疹後神経疼痛治療貼付剤 (リドカイン topical, ILTS®)	→					2018年6月 検証的比較試験で生物学的同等性を確認 2020年NDA申請見込み 欧州開発着手	
MRX-9FLT 中枢性鎮痛貼付剤 (フェンタニル transdermal, ILTS®)	→	製剤開発完了、米国開発着手					
MRX-1OXT 中枢性鎮痛貼付剤 (オキシコドン transdermal, ILTS®, AMRTS®)	→			2018年2月P1a試験結果判明			
MRX-7MLL アルツハイマー治療薬 (メマンチン transdermal, NCTS®)	→	非臨床試験完了 IND・P1a試験準備中					

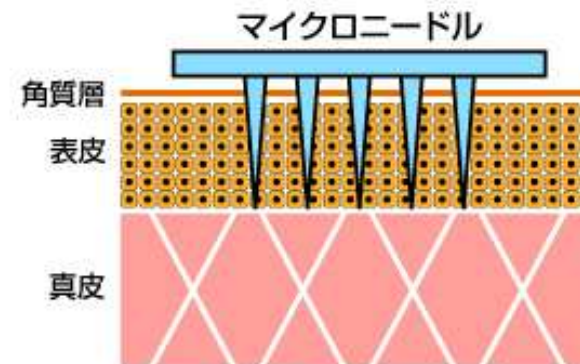
# MRX-7MLL：開発の狙い、開発状況

- 米国アルツハイマー治療薬市場は約1,500億円、うちメマンチン経口剤が約750億円(出所:Datamonitor Healthcare by Informa PLC)
- 患者さん及びケアに当たるご家族や医療従事者のQOL(quality of life)及びコンプライアンスの向上(飲み忘れ等の防止)
  - 1日1回の経口剤 vs. 3日に1回(or 7日に1回)貼付剤
    - ご家族や医療従事者が投薬状況を目視確認できる
- FDAとのPre IND meeting(2018.12)
  - 現在実施中の非臨床試験内容でP1開始に十分であることを確認
  - 経口剤とのBEを示すことができれば有効性を示す臨床試験(P2, P3)は必要でないことを確認
- **非臨床試験完了**
- 2020年にIND申請、pilot PK試験(P1a)を実施予定
  - 商業生産を見越した製造委託先を選定中

# 投与デバイスとしてのマイクロニードル (MN) の特長



- 角質層を無痛で局所的に破壊してワクチン抗原や薬剤を真皮層に投与する、非常に新規性の高い医療デバイス
- 従来の注射製剤と比べて、高い免疫効果が期待される
  - ワクチン、免疫系疾患
- 医療環境が未整備の新興国やパンデミック発生時への対応も期待される
  - 常温輸送・保管（冷蔵・冷凍での輸送や保管を必要としない）
  - 自己投与可能
- 無痛
- 速効性 (vs.経口)
  - 偏頭痛 等





# MN 事業：ターゲット市場と競争環境

## <潜在市場規模>

- ワクチン向けMN：500億円～1兆円

## <競合>

- 少し先を行く競合は存在するものの、いまだ医療用デバイスとしてMN量産を実現しているplayerは存在しない。
  - Zosano, Patheon, 3M, LTS, Corium, Vaxxas, Micron Biomedical...
  - 富士フイルム、ニプロ...

## <当社の現況>

- 2018.5～治験薬工場の整備開始したが、資金不足のため計画中断
- Feasibility Study等を通じて事業提携を模索

## 研究成果発表：ILTS®を用いた核酸・ペプチド経皮吸収



- 皮膚扁平上皮がんに対するmiR-634軟膏の経皮局所投与による治療可能性
  - 米国癌学会年次総会2019(2019.3)、東京医科歯科大学との共同研究
- 甲状腺未分化癌に対するmiR-634を用いた核酸抗癌薬の開発
  - 第78回日本癌学会学術総会(2019.9)、東京医科歯科大学との共同研究
- イオン液体を用いた新規インスリン含有経皮吸収製剤は糖尿病治療薬になりうる
  - 第28回DDSカンファランス(2019.9)、徳島大学との共同研究
- siRNA含有イオン液体製剤の経皮送達による乾癬治療
  - 第58回日本薬学会・日本薬剤師会・日本病院薬剤師会 中国四国支部学術大会(2019.11)、徳島大学との共同研究
- ランゲルハンス細胞上に発現するPD-1リガンドの一つであるPD-L2は皮膚T細胞免疫反応を増強させる
  - 第48回日本免疫学会学術集会(2019.12)、東京医科歯科大学との共同研究



# 2019年12月期 連結損益

連結（百万円）	2018年12月期	2019年12月期	前期比	備考
売上高	8	169	2,022.9%	
製品売上	8	23	277.5%	ヨードコート軟膏販売
研究開発等収入	—	146	—%	「CPN-101」からの開発マイルストーン等
販売費及び一般管理費	1,279	1,792	140.1%	
研究開発費	980	1,512	154.2%	臨床開発費及び臨床準備費の増加
その他管理費	299	280	93.8%	
営業損失	△1,273	△1,627	—	
経常損失	△1,285	△1,633	—	
当期純損失	△1,267	△1,616	—	

当資料は、株式会社メドレックスから直接提供する方法でのみ配布致しております。提供された方のみご使用下さい。この資料のいかなる部分も一切の権利は株式会社メドレックスに帰属しており、電子的または機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性がります。



# 2019年12月期 連結貸借対照表

連結（百万円）	2018年12月期	2019年12月期	増減	備 考
流動資産	1,937	1,501	△436	
現金及び預金	1,796	1,410	△386	当期純損失の赤字幅拡大 △348百万円
その他	141	90	△50	原材料及び貯蔵品の減少△23百万円
固定資産	373	546	173	
有形固定資産	295	471	175	原料倉庫棟の建設 30百万円 マイクロニードルアレイ治験薬工場設備 179百万円
無形固定資産	0	—	△0	
投資その他	77	75	△2	
資産合計	2,311	2,047	△263	
負債	180	126	△54	
流動負債	170	116	△54	未払金の減少 △55百万円
固定負債	10	10	0	
純資産	2,130	1,920	△209	
負債・純資産合計	2,311	2,047	△263	

当

ま

たは機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性がります。



# 2019年12月期 連結キャッシュ・フロー

連結（百万円）	2018年12月期	2019年12月期	増減	備考
営業活動キャッシュ・フロー	△1,260	△1,546	△286	当期純損失の赤字幅拡大
投資活動キャッシュ・フロー	568	△252	△820	有形固定資産の取得 △252百万円
財務活動キャッシュ・フロー	1,362	1,414	52	第三者割当による株式発行による収入 98百万円 第14回及び第15回新株予約権の発行による収入 2百万円 第14回及び第15回新株予約権の権利行使による株式の発行による収入 1,313百万円
現金及び現金同等物換算差額	0	△1	△1	
現金及び現金同等物増減額	670	△386	△1,056	
現金及び現金同等物期末残高	1,796	1,410	△386	

当資料は、株式会社メドレックスから直接提供する方法でのみ配布致しております。提供された方のみご使用下さい。この資料のいかなる部分も一切の権利は株式会社メドレックスに帰属しており、電子的または機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性がございます。



## 2. 2020年12月期 決算見通し

---

---

# 2020年開発計画と売上見込み

## 開発計画

- CPN-101: 提携先のCipla Tech主導でPD (P2) 試験を実施予定
- MRX-5LBT: 米国にて新薬承認申請 (NDA) を予定
- MRX-9FLT: 米国にてIND → pilot PK試験を実施予定
- MRX-7MLL: 米国にてIND → pilot PK試験 (P1a) を実施予定

## 売上見込み

- 製品売上 (ヨードコート軟膏): 14百万円
- 研究開発等収入: 220百万円
  - 「CPN-101」からのマイルストーン収入



# 2020年12月期 決算見通し

連結（百万円）	2019年12月期	2020年12月期	前期比	備考
売上高	169	234	137.9%	
製品売上	23	14	61.0%	ヨードコート軟膏
研究開発等収入	146	220	150.1%	「CPN-101」からの開発マイルストーン
販売費及び一般管理費	1,792	1,420	79.2%	
研究開発費	1,512	1,145	75.8%	臨床試験費用、非臨床試験費用等
その他管理費	280	274	97.7%	
営業損失	△1,627	△1,189	—	
経常損失	△1,633	△1,188	—	
当期純損失	△1,616	△1,191	—	

当資料は、株式会社メドレックスから直接提供する方法でのみ配布致しております。提供された方のみご使用下さい。この資料のいかなる部分も一切の権利は株式会社メドレックスに帰属しており、電子的または機械的な方法を問わず、いかなる目的であれ、無断で複製等を行わないようお願い致します。また、当資料は、現時点における社内計画に基づき作成したものであり、今後変更の可能性がります。



# 本資料の取り扱いについて

---

- 本資料は、投資判断の参考となる情報の提供を目的としており、投資勧誘を目的としておりません。
- 本資料は、正確性を期すべく慎重に作成されていますが、完全性を保証するものではありません。本資料中の情報によって生じた障害や損害について、当社は一切の責任を負いません。
- 本資料は、いわゆる「見通し情報（forward-looking statements）」を含んでおります。これらは、現在における見込、予測及びリスクを伴う想定に基づくものであり、実質的にこれらの記述とは異なる結果を招き得る不確実性を含んでおります。それらリスクや不確実性には一般的な業界ならびに市場の状況、金利、為替変動といった一般的な国内及び国際的な経済状況が含まれます。
- 今後、新たな情報・将来の出来事等が発生した場合でも、当社は本資料に含まれる「見通し情報」の更新・修正を行う義務を負うものではありません。