

東証グロース
4571

2024年3月期第2四半期 決算説明会

NANO MRNA 株式会社

代表取締役社長 秋永士朗

2023年11月14日（火）

“Robust foundation for
Drug Discovery Concert”



2023年1月 mRNA創薬のIPジェネレータモデルへ転換

- 5. 26 株式会社 IP ガイア及びアクセリード株式会社との資本業務提携
- 6. 8 抗菌耳科用製剤『コムレクス®耳科用液1.5%』発売
- 6. 29 社名を「NANO MRNA株式会社」に変更
- 8. 1 Dr. Michael Houstonが合流 (元 TriLink Biotechnologies社 CSO)
- 8. 10 「TUG1 ASO」に関するライセンス契約締結
- 8. 23 「TUG1 ASO」に関する論文公開
- 11. 6 東京都港区に本店移転し営業開始
- 11.14 花王株式会社との包括共同研究契約締結



mRNA医薬の研究開発に追い風

11月 2023年度のノーベル医学・生理学賞 「mRNA技術」が受賞

mRNA医薬品 IP Generator



2024年3月期第2四半期 決算概要

2024年3月期 業績予想

2024年3月期第2四半期 損益計算書



| (単位：百万円) | 2023年3月期 第2四半期実績累計 (連結) | 2024年3月期 第2四半期実績累計 (連結) | 増減 B - A |
|-----------------|-------------------------------|-------------------------------|-------------|
| 売上高 | 91 | 91 | 0 |
| 売上原価、販売費及び一般管理費 | 789 | 609 | (180) |
| 内：研究開発費 | 内：602 | 387 | (215) |
| 営業（損失）利益 | (697) | (518) | 179 |
| 営業外収益/（費用）ネット | 96 | 47 | (49) |
| 経常（損失）利益 | (600) | (471) | 129 |
| 当期（純損失）純利益 | (887) | (477) | 410 |

2024年3月期第2四半期 貸借対照表



| (単位：百万円) | 2023年3月31日 (A) | 2023年9月30日 (B) | 増(減) (B)-(A) |
|------------------|-------------------|-------------------|-----------------|
| 現預金、運用債券等（手許流動性） | 4,443 | 4,640 | 197 |
| その他流動資産 | 225 | 189 | (35) |
| 固定資産 | 1,115 | 608 | (507) |
| 資産合計 | 5,784 | 5,439 | (345) |
| 転換社債型新株予約権付社債 | 1,108 | 1,108 | 0 |
| その他負債 | 422 | 538 | 116 |
| 純資産 | 4,253 | 3,791 | (461) |
| 資本金及び資本剰余金 | 5,618 | 5,665 | 46 |
| 利益剰余金 | (1,371) | (1,848) | (477) |
| その他有価証券評価差額金 | 4 | (40) | (44) |
| 新株予約権 | 2 | 15 | 13 |
| 負債・純資産合計 | 5,784 | 5,439 | (345) |

2023年1月26日発表

mRNA医薬の研究開発を推進するための資金として

➤ 第6回無担保転換社債型新株予約権付社債

| | | |
|--------|---|---|
| 予約権総数 | : | 39個 |
| 潜在株式数 | : | 普通株式 7,200,754株 |
| 転換価額 | : | 154円 |
| 資金調達額 | : | 0円（第5回無担保転換社債型新株予約権付社債39個（額面11.2億円）を出資） ⇒ <u>第5回無担保転換社債型新株予約権付社債のリファイナンス</u> |
| 資金使途変更 | : | mRNA医薬品開発の推進（950百万円） TUG 1 医薬の治験・導出活動費用（200百万円） |

割り当て先：
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合
（株式会社ウイズ・パートナーズ）

➤ 第20回新株予約権

| | | |
|----------|---|--|
| 予約権数 | : | 102,642個 |
| 潜在株式数 | : | 普通株式 10,264,200株 |
| 行使価額 | : | 154円 |
| 現在までの調達額 | : | 発行分0円（第5回無担保転換社債型新株予約権付社債1個（額面28百万円）を出資） ⇒ <u>これにより第5回無担保転換社債型新株予約権付社債の残存は0</u> 行使分0円（全て行使された場合の調達額1,580百万円） |
| 支出予定期間 | : | ～2025年12月 |
| 資金使途 | : | mRNA医薬品開発の推進（910百万円） TUG 1 医薬の治験・導出活動費用（155百万円） 革新的mRNA技術獲得及びM & A（500百万円） |

割り当て先：
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合
（株式会社ウイズ・パートナーズ）

2023年5月26日発表

関係強化による新規mRNA医薬の研究開発を推進するための資金として

➤ 第21回新株予約権

予約権数 : 23,585個
潜在株式数 : 普通株式 2,358,500株
行使価額 : 212円
現在までの調達額 : 発行分 6,839,650円
行使分0円（全て行使された場合の調達額 500百万円）
支出予定期間 : ~2028年 6月
資金使途 : mRNA医薬品開発の推進（500百万円）

割り当て先：IPガイア

予約権数 : 23,585個
潜在株式数 : 普通株式 2,358,500株
行使価額 : 212円
現在までの調達額 : 発行分 6,839,650円
行使分0円（全て行使された場合の調達額 500百万円）
支出予定期間 : ~2028年 6月
資金使途 : mRNA医薬品開発の推進（500百万円）

割り当て先：アクセリード

2024年3月期 事業計画



| (単位：百万円) | 2023年3月期実績 (連結) | 2024年3月期レンジ予想 (連結) | 増減 |
|--------------------|--------------------|-----------------------|-----------|
| 売上高 | 202 | 143 | (59) |
| 売上原価、販売費及び一般管理費 | 1,448 | 1,186~1,526 | (262)~78 |
| 内：研究開発費 | 1,120 | 816~1,150 | (304)~30 |
| 営業（損失）利益 | (1,246) | (1,042)~(1,382) | 204~(136) |
| 経常（損失）利益 | (1,104) | (995)~(1,335) | 109~(231) |
| 親会社に帰属する当期（純損失）純利益 | (1,310) | (1,029)~(1,369) | 281~(59) |

2024年3月期 売上高の内容

- 化粧品材料供給、共同研究収入等

2024年3月期 研究開発費の内容

- mRNA創薬ビジネスの本格稼働
- 医師主導治験に向けた活動
 - RUNX1 mRNA (AMED CiCLE)
 - TUG1 ASO (AMED 革新がん)

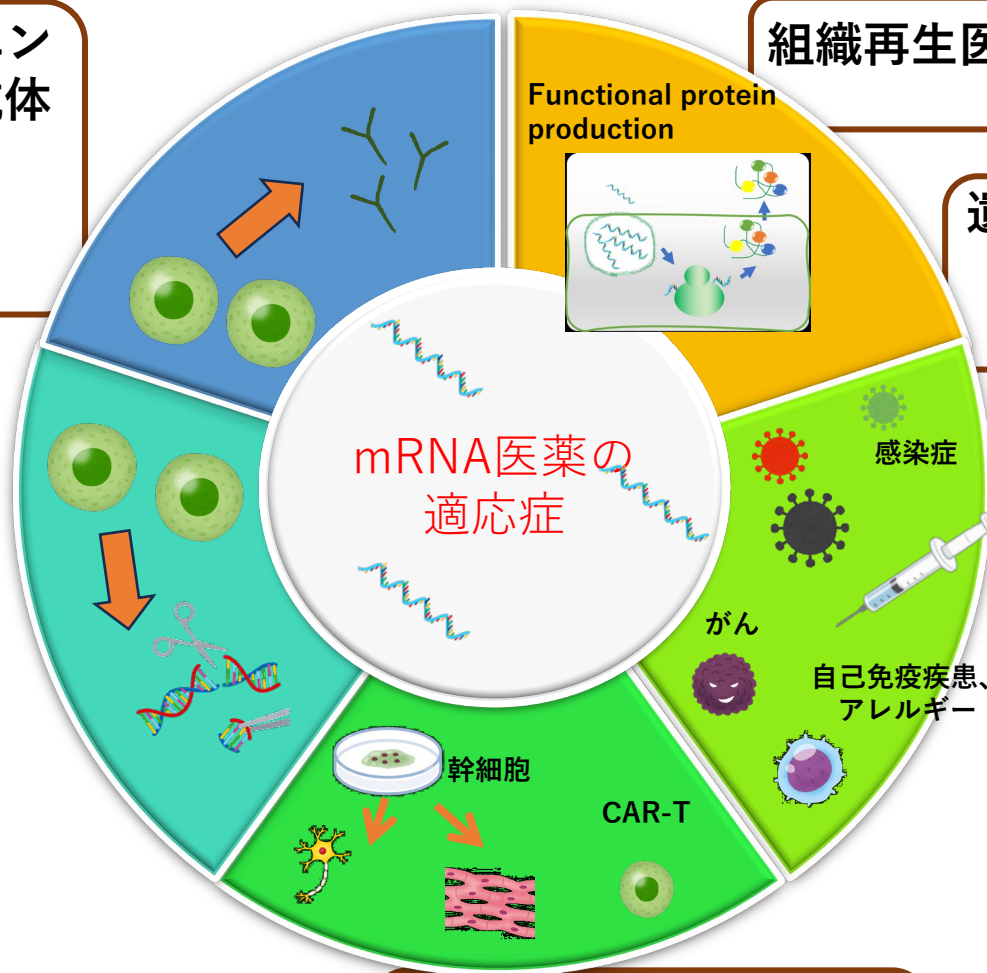
mRNA医薬品 IP Generator



mRNA医薬

mRNAエンコード抗体
チクングニアウイルスに対する抗体をコードするmRNAが、PI試験でPOPA

ゲノム編集
遺伝性ATTRアミロイドーシス対象のPI試験でPOC

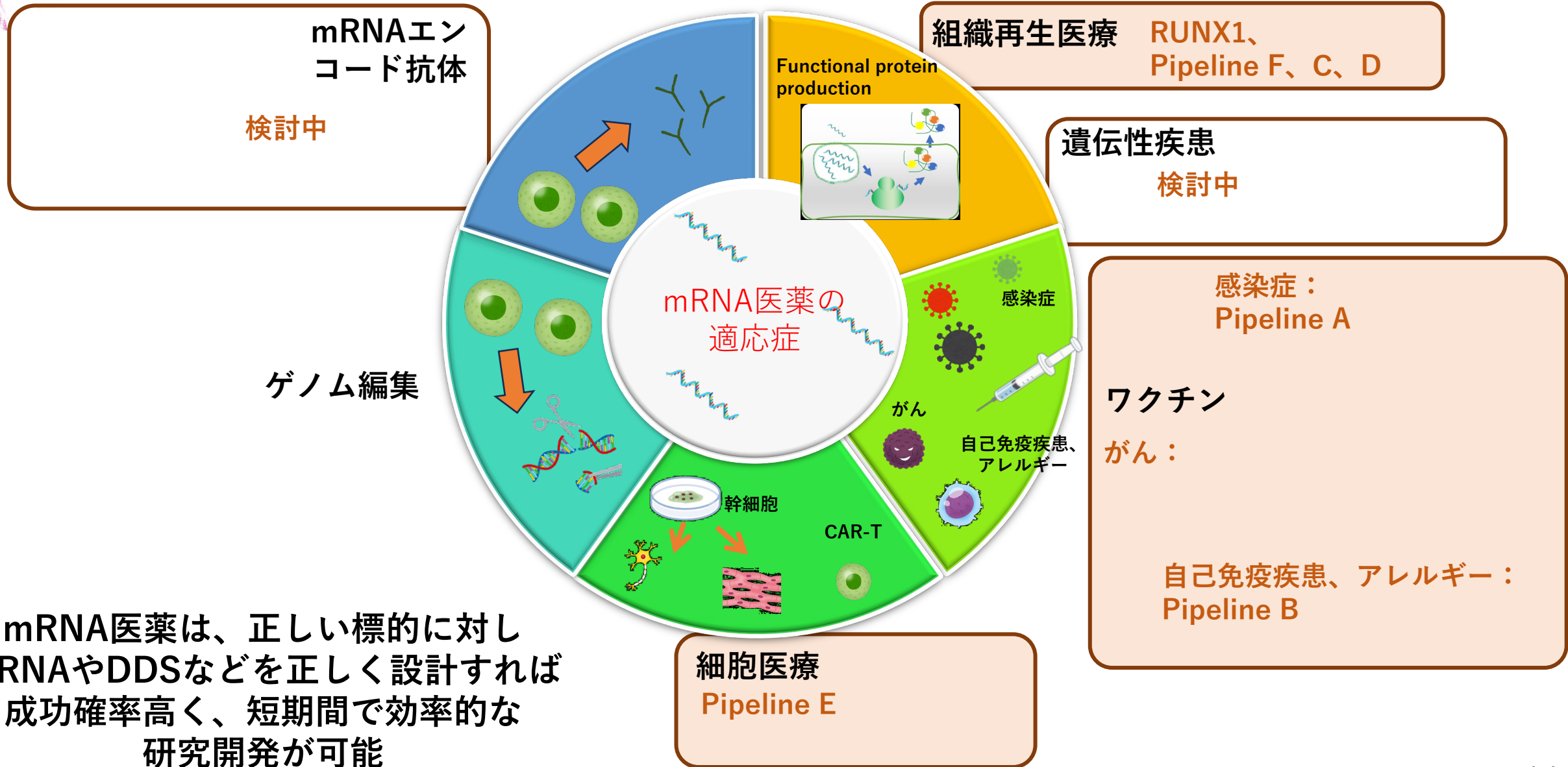


組織再生医療 心筋梗塞治療薬として VEGF mRNAがPOC

遺伝性疾患
プロピオン酸血症(PA)対象のPI/II試験でPOC

ワクチン
感染症：
インフルエンザ等のmRNAワクチンが近々上市見込み
がん：
ネオ抗原ワクチンがKeytrudaと併用でPIII
自己免疫疾患、アレルギー：
免疫寛容誘導（“逆ワクチン”）の開発進行中

細胞医療
様々なmRNA CAR-Tなどが開発中



mRNA医薬は、正しい標的に対し mRNAやDDSなどを正しく設計すれば 成功確率高く、短期間で効率的な 研究開発が可能

mRNA医薬品 IP Generator



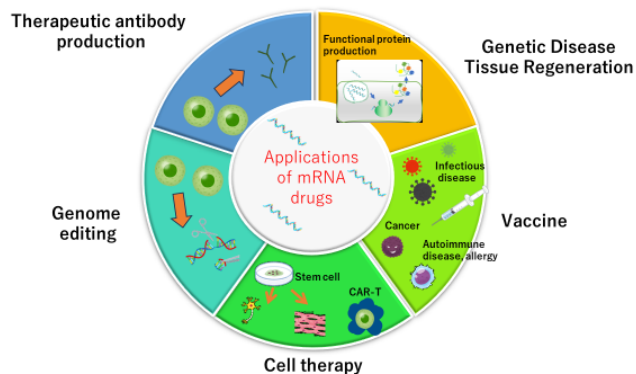
パイプラインの進捗状況

NANO MRNA : 新たなmRNA創薬プラットフォーム



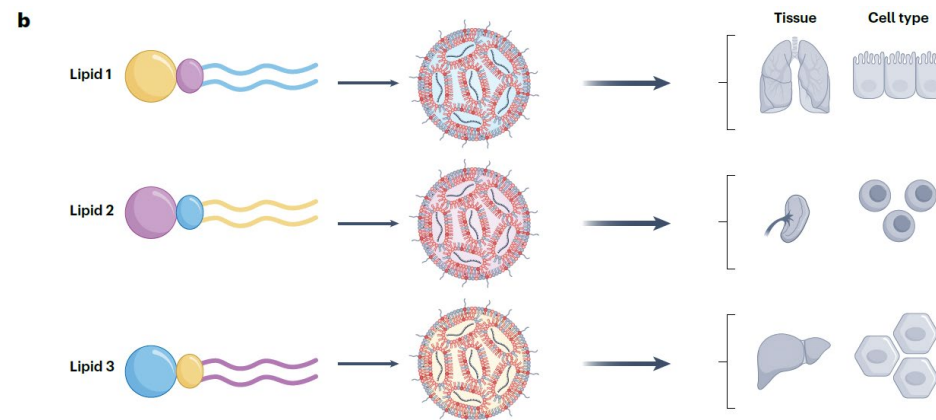
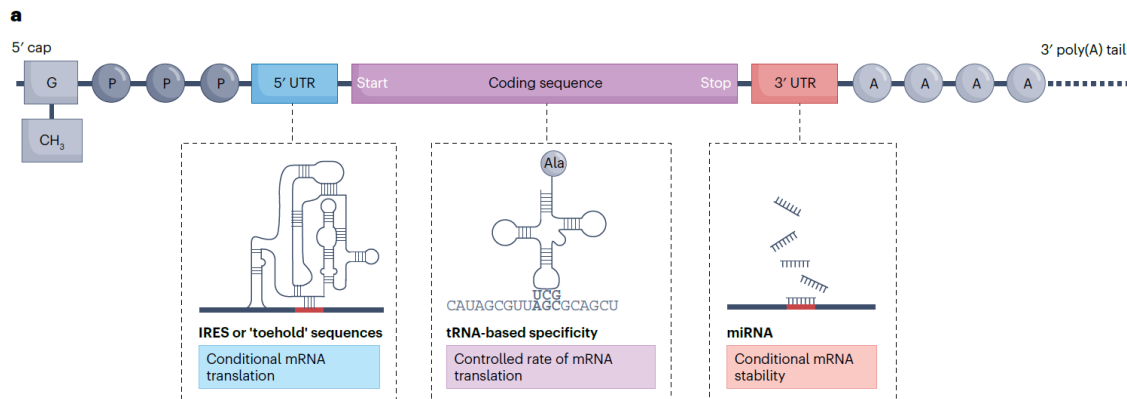
mRNA医薬の可能性を追求：Right Design (target selection, mRNA structure, DDS)と最適なパートナーにより、R&Dアウトプットを最大化

mRNA医薬：広範な適応



mRNA医薬は、正しい標的に対し、mRNAやDDSなどを正しく設計すれば、成功確率高く、短期間で効率的な研究開発が可能

創薬シーズ/ニーズ（産学、産産、自社）：ネットワーク
 ↓
 mRNAデザイン/スクリーニング × 科学
 ↓
 DDS選択：LNP or NOT LNP × 経験
 ↓
 非臨床/CMC→IP創製→ライセンス



花王株式会社との包括共同研究契約締結



花王と NANO MRNA mRNA 医薬品創薬に向けた包括共同研究契約を締結

NANO MRNA 株式会社(代表取締役社長 秋永士朗、以下 NANO MRNA)と花王株式会社(代表取締役社長 長谷部佳宏、以下花王)は、花王が独自開発した免疫制御技術「SNAREVAX(スネアボックス)™」*1 を用いた、メッセンジャー-RNA (mRNA) 医薬品の創薬に向けた包括共同研究契約を締結しました。

*1 抗原に対して特定のタンパク質を融合した核酸配列設計を採用することで、その抗原に対する免疫応答を促進することが期待される技術のこと。「SNAREVAX™」は花王が商標登録出願中です。

2023年11月14日開示



花王はこれまで、界面科学や生命科学などに関する長年の研究資産を活用し、清潔・健康・美の実現に向けたさまざまな製品開発を行ってきました。今回、生命科学領域の研究を深化させ、mRNA 医薬品に応用可能な免疫制御技術を生み出しました。

NANO MRNA は、医薬品開発における豊富な知見を持つ mRNA 医薬品創薬のパイオニアとして、mRNA 医薬品候補の創出に特化した事業を推進しています。新たな技術を持つパートナーとの協働等による創薬活動を通じ、人々が必要とする mRNA 医薬品を届けることをめざしています。

花王は、新技術を活かすパートナーとして NANO MRNA に注目しました。mRNA 医薬品で世界の患者へ貢献したいという両社の思いが合致し、2022 年から、新規 mRNA 医薬品開発に向けた SNAREVAX™ の有効性検証を共同で実施。本技術が優れた免疫制御機能を有することを確認してきました。

本包括共同研究では、SNAREVAX™ を使い、アレルギー疾患をはじめとした領域において画期的な mRNA 医薬品創薬に向けた研究開発を推進します。アレルギー疾患は世界的な社会課題の 1 つで、罹患すると著しい QOL 低下を招くだけでなく、喘息の発作や食物アレルギーによるアナフィラキシーなど重篤な症状を引き起こすこともあります。世界アレルギー機構(WAO)によると、世界では、2.4~5.5 億人が食物アレルギーに罹患しており、世界の子供の 40~50% が 1 つ以上のアレルゲンを持つと報告されています。また、先進工業国では 50 年以上にわたりアレルギー疾患の有病率が上昇し続けています*2。

*2 WAO White Book on Allergy 2013 update

今後、両社は、既存の医薬モダリティ(治療法)では十分な治療効果を得られない疾患に悩む人々への貢献をめざし、研究開発を推進していきます。

ワクチン

感染症予防：日本発の技術による感染症ワクチンを研究開発中。名古屋大発ベンチャーCrafton Biotechnology株式会社（研究代表機関）、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合（MAB組合、神戸）などと協力。本件は、AMED先進的研究開発戦略センター（SCARDA）事業に採択

免疫寛容誘導：自己免疫疾患やアレルギーのような免疫異常（自己免疫、過剰免疫など）による疾患に対し、原因となっている抗原に対する免疫寛容を誘導。花王と対象疾患を選択済み。順次、新たな疾患を開始予定

組織再生

皮膚領域：加齢などにもなう皮膚組織の変性修復。ターゲットとする症状を選定し、標的遺伝子を決定済み

パイプライン



| 疾患領域 | 疾患 | 標的タイプ | シード | 非臨床 | 臨床P1 | パートナー | |
|------|----------|---------------|-----|-----|------|-------------|-------------|
| 組織再生 | 変形性関節症 | mRNA: RUNX1 | | | | CiCLE | アクセリードHD |
| | 皮膚疾患 | mRNA: F | | | | | |
| | 眼科領域 | mRNA: C | | | | | |
| | 耳鼻科領域 | mRNA: D | | | | | |
| ワクチン | 免疫疾患 | mRNA: B | | | | | 花王 |
| | 感染症 | mRNA: A | | | | AMED SCARDA | クラフトン/MAB組合 |
| | がん（細胞医療） | mRNA: E | | | | | |
| がん | 膠芽腫 | ASO: TUG1 | | | | AMED | 名古屋大学 |
| | 乳がん | siRNA: PRDM14 | | | | | 慶応大学 |

変形性膝関節症に対するDMOAD (Disease-modifying osteoarthritis drug)

RUNX1 mRNA

軟骨・骨の変形に作用し、OAの進行を抑制および疼痛の軽減を実現

2023年度 医師主導治験開始予定

PMDA相談：医師主導治験開始のため、非臨床、臨床、及び品質のそれぞれについて進行中

変形膝関節症：

日本における有病者数は約2,530万人、有症状患者数は約800万人から1,000万人と推定され（出典：厚生労働省「患者調査の概要」）、社会の高齢化が進むため患者の対総人口比はさらに上昇すると予想されている。

現在の治療法

- 手術または対症療法
- 局所注射薬：ヒアルロン酸、ステロイド
- 経口薬：アセトアミノフェン、NSAIDs、オピオイド

がん細胞の生存に必須な非翻訳長鎖RNAを
標的とする膠芽腫治療薬

TUG1 ASO

がん細胞の異常増殖に伴う複製ストレス
を増大させることにより細胞死を誘導、
既存薬と併用可能ながん選択的ASO医薬

2023年度 医師主導治験開始予定

医師主導治験：開始準備が最終段階

治験実施施設：名古屋大学、国立がん研究センター中央病院
京都大学

2023年4月（2026年3月まで）

- AMED革新的がん医療実用化研究事業に採択
名古屋大学・近藤豊先生
2020年4月～2023年3月に続き2期連続採択

2023年8月

- TUG1の分子作用機構解明に関する論文
Nature Communications
名古屋大学、浜松医科大学

TUG1関連特許の独占的ライセンス契約締結
名古屋市立大学、東京大学
(2023年8月)



ライセンス活動を本格化
(IPガイア)



ありがとうございました

本資料には、当社の事業及び展望に関する将来見通しが含まれておりますが、現時点で入手可能な情報に基づき当社が判断した予想であり、潜在的なリスクや不確実性が含まれています。そのため、様々な要因の変化により実際の業績は記述している予想とは大きく異なる結果となる可能性があることを御承知おき下さい。

また、医薬品（開発品）に関する情報が含まれていますが、それらは宣伝・広告や医学的なアドバイスを目的とするものではありません。

NANO MRNA株式会社 コーポレートコミュニケーション部 03-6432-4793