

バイオIR DAY
2024年7月10日（水）

東証グロース 4571

NANO MRNA 株式会社

会社説明会

代表取締役社長 秋永士朗

**“Robust foundation for
Drug Discovery Concert”**



Global leader for “mRNA for health”

Mission

Robust foundation for Drug Discovery Concert

mRNAの未来を協創する

Vision

mRNA medicine IP generator as a platform company that connects drug discovery seeds with medical and drug development needs.

創薬シーズと医療・開発ニーズをつなぐプラットフォームとして、
mRNA医薬のIP創出とライセンスアウトのサイクルを確立します。

会社概要



設立	1996年6月14日
上場市場	東京証券取引所 グロース市場 (2008年3月5日 東証マザーズ上場)
所在地	本社 東京都港区 研究所 神奈川県川崎市川崎区殿町
子会社	株式会社 PrimRNA NanoCarrier US Danville, VA
資本金	142 百万円 (2024年3月31日現在)
発行済株式総数	70,151,558 株 (2024年3月31日現在)
役職員	28名 (2024年3月31日現在)

<経営チーム> 2024年6月27日～

代表取締役社長CEO	秋 永 士 朗
取締役会長	松 村 淳
副会長	飯 野 智 (株式会社ウィズ・パートナーズ 代表取締役社長CEO)
取締役 (社外)	長谷川 由 紀 (株式会社ウィズ・パートナーズ ヘルスケア・インベストメント・ヘッド)
取締役 (社外)	黒 圖 肇
監査役	松 山 哲 人
監査役 (社外)	松 尾 隆 (株式会社オートバックス南日本販売 相談役)
監査役 (社外)	和 田 成 一 郎 (株式会社ウィズ・パートナーズ マネージング・ディレクター)

Global leader for “mRNA for health”



ビジネスモデル

mRNA創薬の IP Generator

mRNAの創製および非臨床開発を行い、開発/販売権を他社へライセンスアウト
契約一時金、マイルストーンや上市後の販売高に対するロイヤリティを受領

シーズから非臨床に特化

研究

非臨床試験

医薬品開発のステージごとの成功確率※ 69%

※NATURE REVIEWS DRUG DISCOVERY, Vol.20.,203-214, March 2010

臨床（第Ⅰ～Ⅲ相） 承認/上市

PI:54% PII:34% PIII:70% 91%

12%

P1から上市までの成功確率：12% ⇒ 臨床開発開始前にライセンスアウト

創薬におけるグループ企業との役割分担



グループ企業で強力な創薬バリューチェーンを構築



NANO MRNA :

- 分子標的/疾患を選定 → mRNAデザイン/DDSをデザイン → 薬理試験、動態・分布、初期毒性試験を実施 → 開発候補および知的財産を創製
- 治験申請用パッケージはクライアントの希望に応じて作成
- 治験実施前段階でライセンスし、収入を獲得

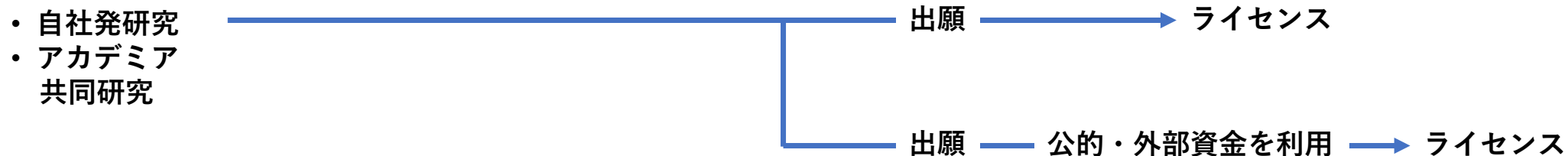
導出までの種々のパターン（受託型が増加傾向）



①協業型



②創薬ベンチャー型



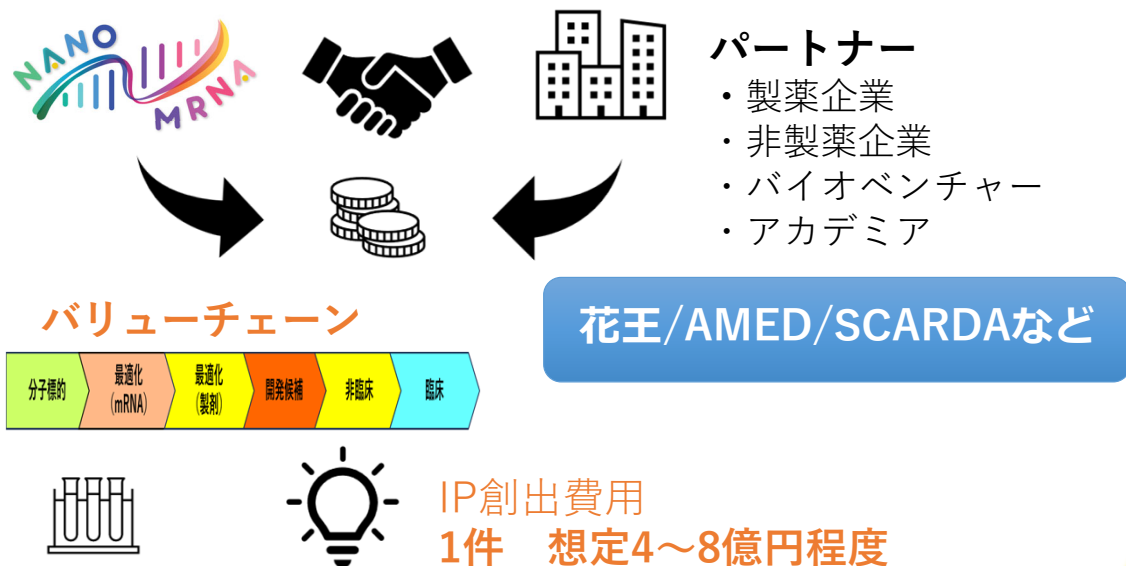
③受託研究型



収益モデル



協業型・創薬ベンチャー型事業



IP導出

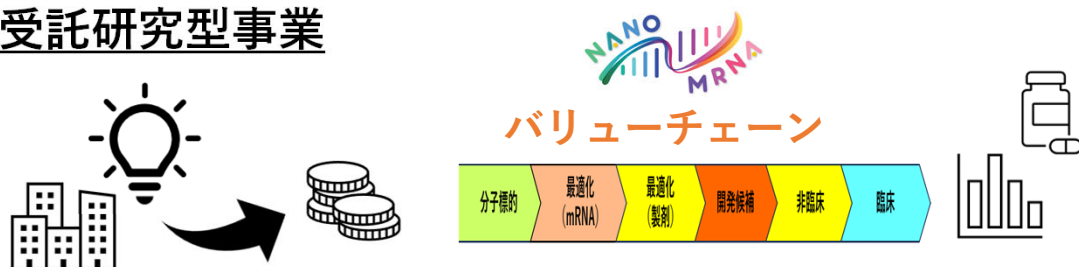
グローバル製薬企業などへ導出

1件 想定 30～50億円程度

+

販売ロイヤリティ

受託研究型事業



mRNA医薬の研究開発を受託
(mRNA設計～非臨床/臨床開発など)

1件 想定 数千万～数億円程度

mRNA創薬ビジネスの収益イメージ



収益イメージ
3年後から、ライセンス一時金を受領
ライセンス数の増加に伴い収益が期待できる

0

グラフについてはイメージとして表示しており、必ずしも上記イメージ通りに成長することを約束するものではありません。

	2024年3月期（実績）	2025年3月期（予定）	2026年3月期（予定）
実行PJ数（累計）	9	12	14
IP創出数（累計）	0	3	5
ライセンスアウトPJ数			2
受託型PJ数（累計）		2	8

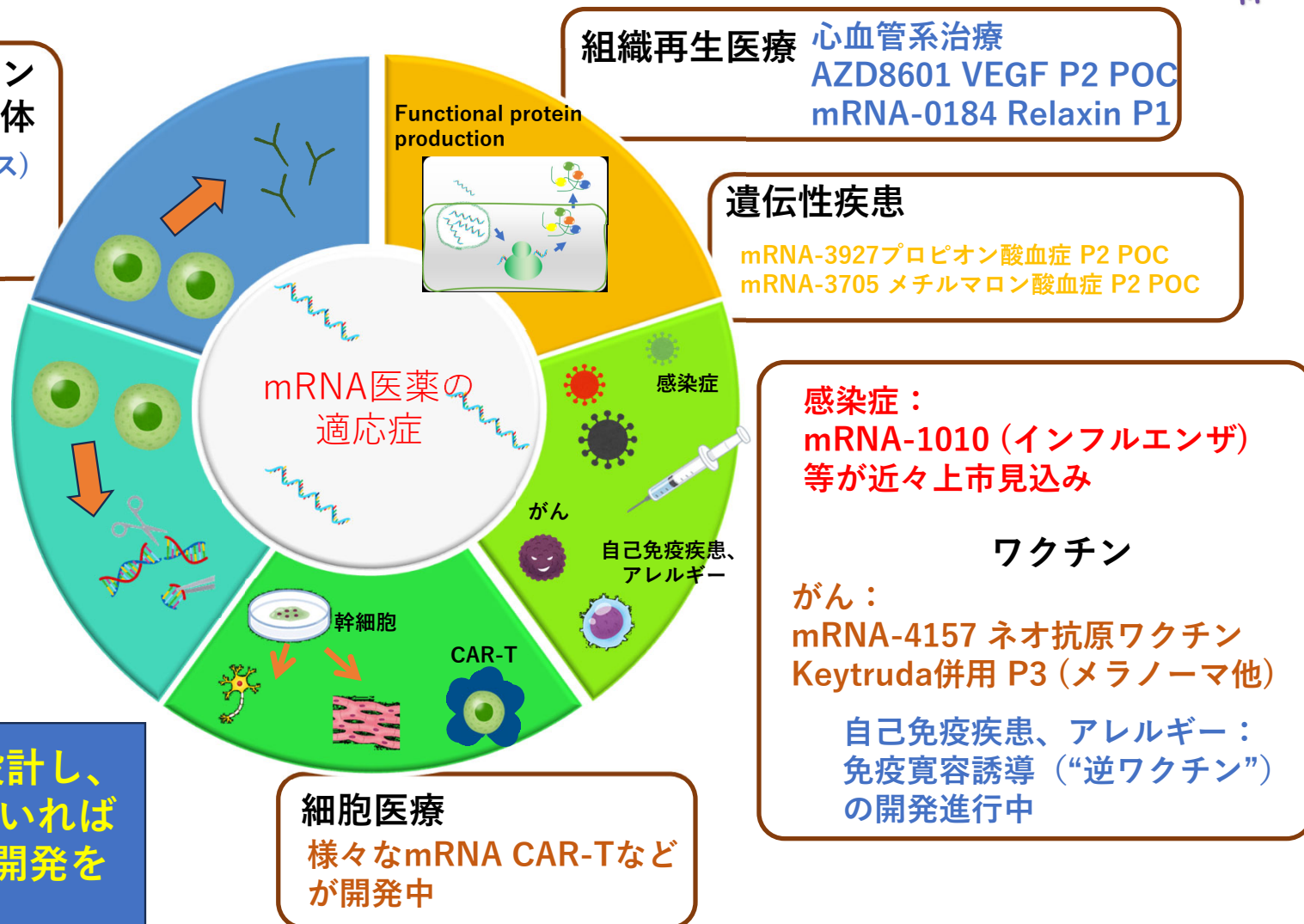
- IP創出割合：3割 ライセンス確率：2割 と想定
- 開発資金の調達金額が想定を下回った場合、当初想定のパイプラインの開発着手ができず、事業計画に影響を及ぼす可能性があります。

Global leader for “mRNA for health”



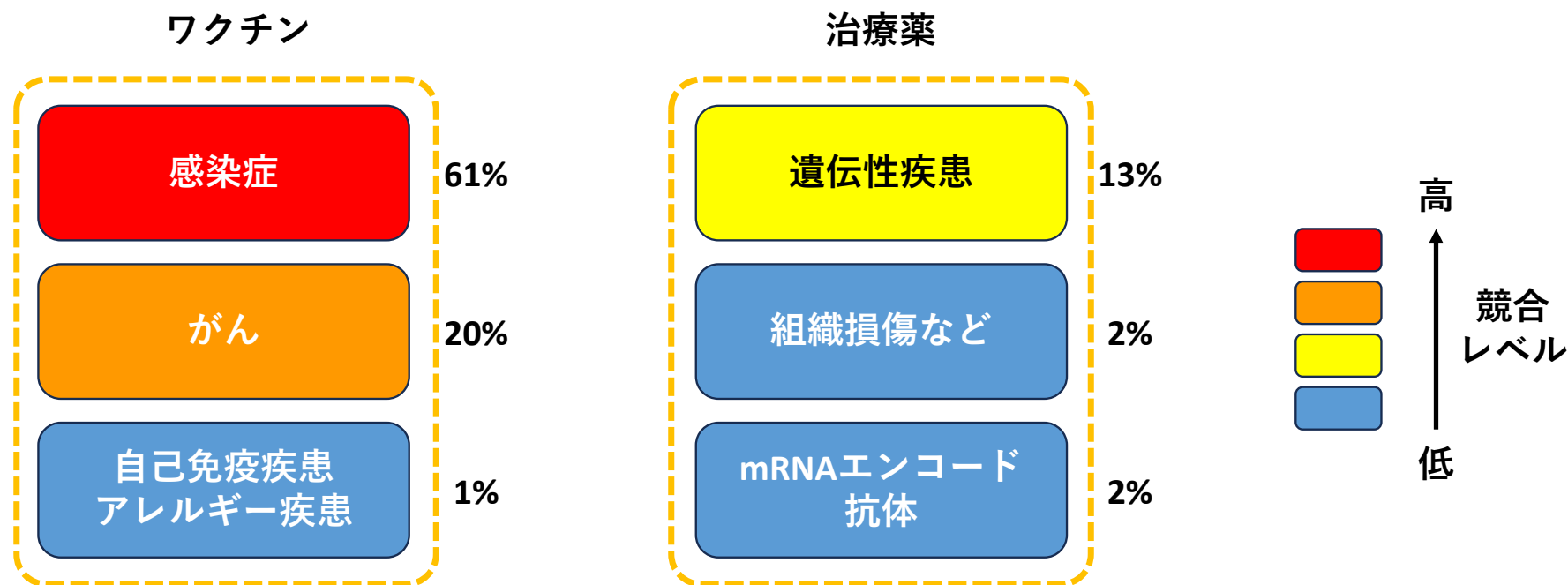
mRNA医薬開発市場環境

mRNA医薬：広範な適応 — 世界現状：2024年 —



標的に対し適切なmRNAを設計し、
標的組織を考慮したDDSを用いれば
成功確率が高く効率的な研究開発を
進めることが可能

Moderna、BioNTech、Arcturus、CureVacのパイプライン分析



4社合計: 82プロジェクト
図中の %は、82プロジェクトに対する百分率

- 感染症ワクチンが最も競合度が高く、がんワクチン、遺伝性疾患治療薬がこれに続く
- 自己免疫疾患・アレルギー疾患に対する免疫寛容誘導ワクチンや組織損傷などに対する再生医薬などは競合度が低い

Global leader for “mRNA for health”



パイプライン

パイプライン



創薬領域	疾患	分子標的	シード	非臨床			臨床P1	パートナー
組織再生	変形性膝関節症	RUNX1						PrimRNA  
	皮膚疾患	F						
	眼科疾患	C						X社
ワクチン	アレルギー疾患	B						花王
	感染症	A						クラフトン/MAB組合  
	アレルギー疾患	G						花王
	自己免疫疾患	H						花王
がん	膠芽腫 (ASO)	TUG1					DL1	名古屋大学 
	乳がん (siRNA)	PRDM14					DL4	慶応大学

DL: Dose Level

RUNX1 mRNA：転写因子RUNX1のmRNA/DDS製剤



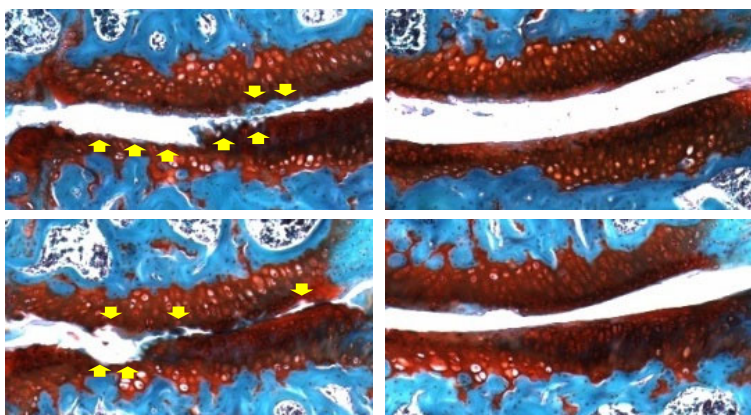
対象疾患：変形性膝関節症（疾患修飾薬）

- 軟骨の再生を促進する転写因子RUNX1をコードするmRNAのDDS製剤を膝関節内に投与
- 東京医科歯科大学・位高啓史先生との共同研究開発(AMED CiCLEに採択)
- 自社特許保有

RUNX1 mRNA治療後の膝軟骨組織像

対照群

RUNX1 mRNA投与群

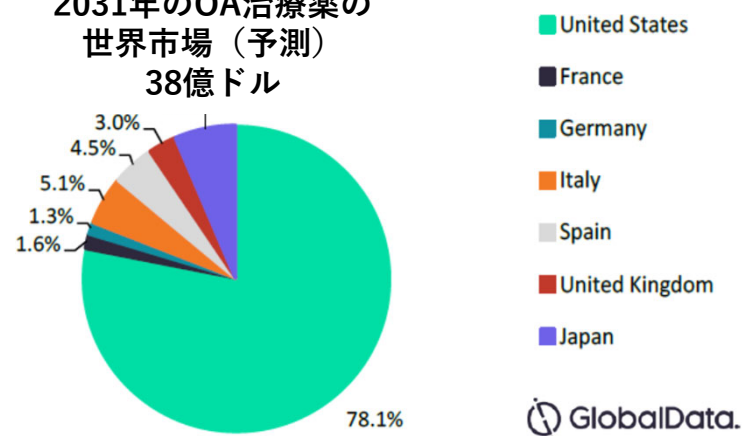


対照群では関節軟骨表面のめくれ・変性・摩耗が認められる一方、RUNX1 mRNA投与群では、抑制されている

OA市場の成長ドライバー

- 新規作用機序や疾患修飾作用を有する薬剤が上市により、治療レジメンが変化し、市場が拡大する。
- 高齢化および肥満の広がりにより、OA患者数は今後も増加し続ける。
- 画像診断技術の向上が、疾患修飾薬の開発を促進し、早期介入を促す。
- その他

2031年のOA治療薬の世界市場（予測） 38億ドル



2024年度2H 医師主導治験開始予定

花王株式会社との包括的共同研究

2023年11月14日に発表した「mRNA医薬品創薬に向けた包括的共同研究契約」に基づき、アレルギー領域において免疫寛容誘導ワクチン¹⁾の共同研究を進めている。最初の共同プロジェクトはステージアップが決定し、これに続く複数のプロジェクトを開始した。

1)免疫寛容誘導ワクチン：自己免疫疾患やアレルギーなどの免疫異常による疾患に対し、原因となっている抗原に対して免疫寛容を誘導するワクチン

AMED先進的研究開発戦略センター(SCARDA)事業

名古屋大学発ベンチャーCrafton Biotechnology株式会社を研究代表機関として、令和4年10月に「重点感染症にも応用可能性が見込める新規モダリティの研究開発」に採択された課題に、次世代バイオ医薬品製造技術研究組合(MAB組合・神戸)と共に参画している。NANO MRNAは今年度から非臨床試験を担当し、マイルストーンをクリアする成績が得られた場合は臨床試験(Phase I)も担当予定である。

TUG1 ASO：長鎖非翻訳RNA TUG1に対するアンチセンス核酸/DDS製剤



対象疾患：膠芽腫（ファースト・イン・クラス抗がん剤）

- 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する
- 名古屋大学医学部・近藤豊先生/斎藤竜太先生との共同研究開発
AMED革新がん医療実用化事業(2026年3月まで)、臨床研究治験推進研究事業(2027年3月まで)採択
- 強固な知的財産権(TUG関連特許独占ライセンス済+YBCポリマー自社特許)

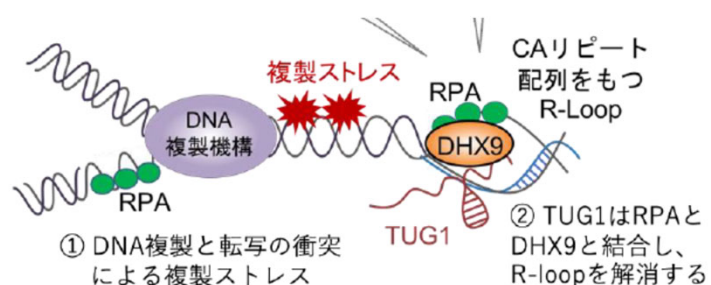
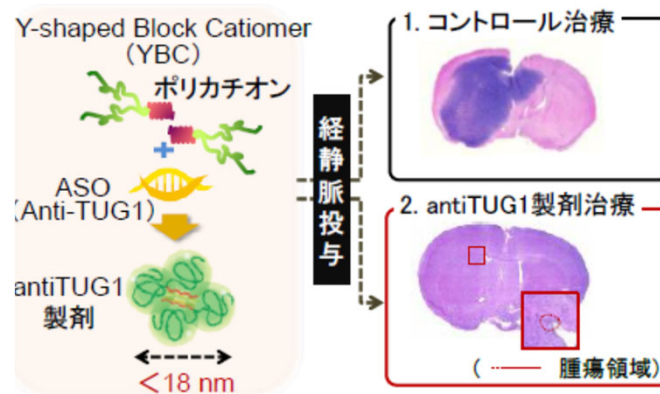
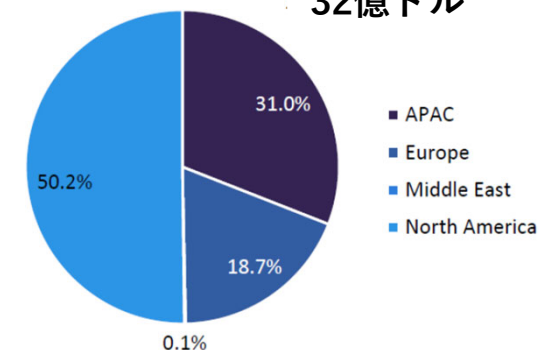


図2 複製ストレスによって発現上昇するTUG1はR-loopを解消する



2031年のGBM治療薬の世界市場（予測） 32億ドル



GlobalData.

医師主導治験：2024年2月に最初の症例登録を完了し症例登録および投与継続中
実施施設：名古屋大学病院、京都大学病院、国立がん研究センター中央病院

PRDM14 siRNA (NC-6100) : siRNA/DDS製剤



対象疾患：HER2陰性転移性乳がん

- 乳がんなどに高発現する転写因子PRDM14を阻害するsiRNA医薬
- 慶応義塾大学等との共同開発
- YBCポリマーによるsiRNAのDDS製剤

2020年9月：医師主導第I相医師主導臨床試験開始
PIがん研有明病院・高橋俊二先生

2024年6月：第28回がん治療分子標的学会学術総会にて経過報告

- 安全性：HER2陰性転移性乳がん患者10例に投与され、重篤な副作用は確認されず大きな問題はなかった
- 抗腫瘍効果：10例中6PD、4SD。最高用量の1例で長期SDが見られ、無増悪生存期間は25-180日(中央値45日)
- 薬物動態：PRDM14 siRNA/YBCポリマー複合体投与の投与量の増加に伴うPRDM14 siRNA曝露の増加が確認。最高用量では非臨床成績から外挿される有効血漿中濃度に到達、オリゴ核酸医薬の薬物送達システムとしてのYBCポリマーの臨床における有用性が示唆

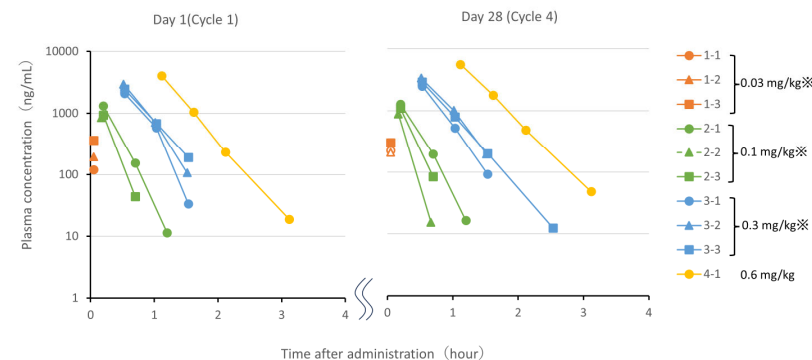
HER2陰性乳がん

11人に1人の女性が罹患する（厚生労働省人口動態調査）と言われる乳がん中でHER2陰性乳がんは2/3を占め（ESMO OPEN 2023）、エストロゲン受容体（ER）陽性群とER陰性群に分類され、後者はトリプルネガティブ乳がん（TNBC）と呼ばれる。

HER2陰性ER陽性乳がんおよびTNBCは共に標準治療後の再発患者での生存率が著しく低く、新たな治療法が求められている。

乳がん患者に対するPRDM14を標的とした核酸医薬 医師主導第I相試験

PK血漿中濃度推移（Day 1とDay 28の比較）Logarithmic plot



※0.03 mg/kg, 0.1 mg/kg, 0.3 mg/kgのデータは安定性期間外のため参考値

mRNA医薬品 IP Generator



2025年3月期 事業計画

事業計画(2025年3月期)



(単位：百万円)	2024年3月期実績 (連結)	2025年3月期予想 (連結)	増減
売上高	135	51	▲84
売上原価、販売費及び一般管理費	999	1,294	▲295
内：研究開発費	647	929	▲282
営業（損失）利益	(864)	(1,242)	▲378
経常（損失）利益	(749)	(1,192)	▲443
当期（純損失）純利益	(780)	(1,206)	▲426

2025年3月期の計画

売上高

化粧品材料供給等

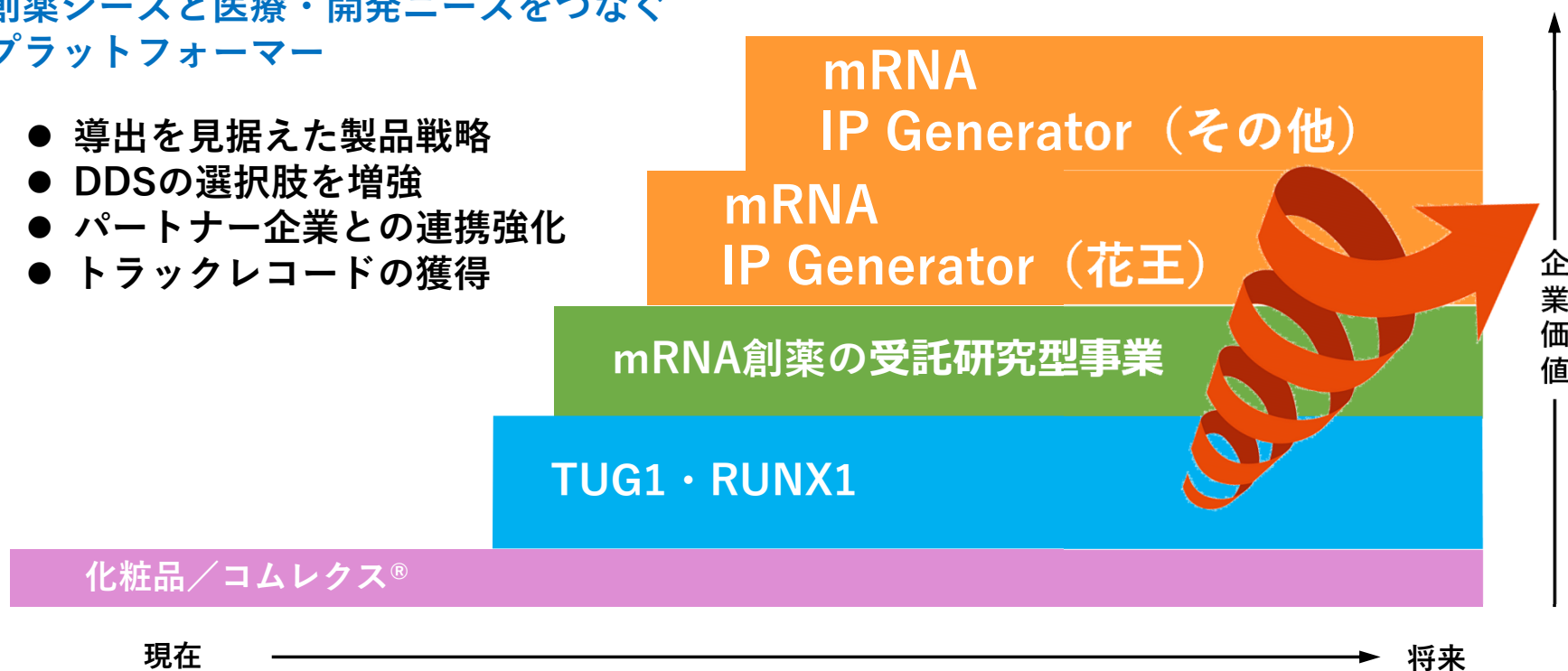
研究開発費

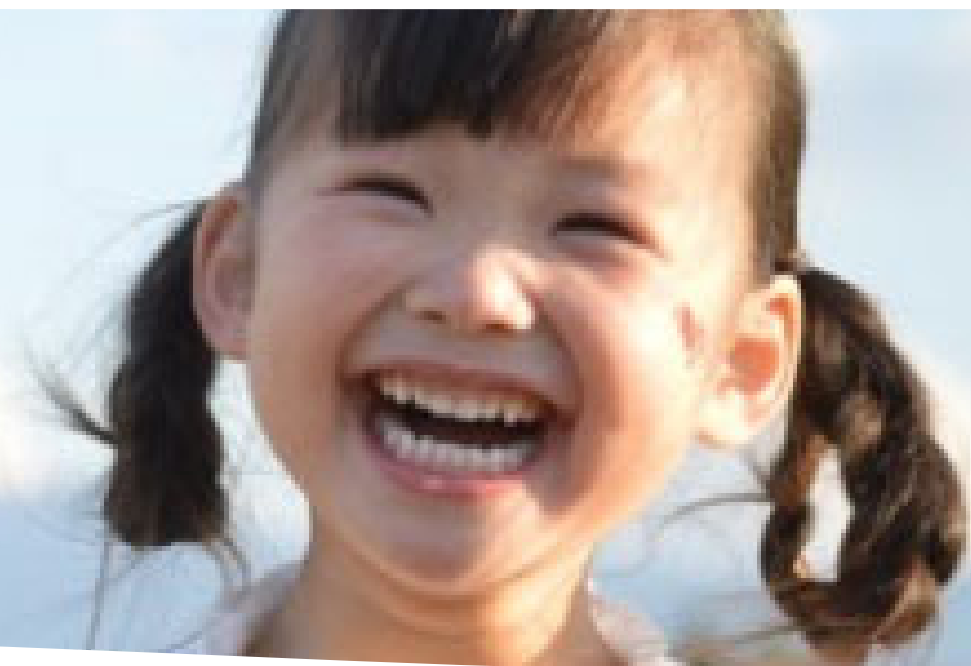
- ① 花王との共同研究などmRNAシーズの探索
- ② アクセリードグループ及びIPガイアとの連携強化
- ③ 医師主導治験の実施
 - RUNX1 mRNA (AMED CiCLE)
 - TUG1 ASO (AMED 革新がん、臨床研究・治験推進研究事業)

Global leader for “mRNA for health”

mRNA医薬を中心に
創薬シーズと医療・開発ニーズをつなぐ
プラットフォーマー

- 導出を見据えた製品戦略
- DDSの選択肢を増強
- パートナー企業との連携強化
- トラックレコードの獲得





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 03-6432-4791