

東証グロース
4571

2024年3月期 決算説明会

NANO MRNA 株式会社

代表取締役社長 秋永士朗

2024年5月16日（木）



“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マーとして、
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。

Global leader for “mRNA for health”



ビジネスモデルとmRNA医薬開発市場環境

創薬におけるグループ企業との役割分担



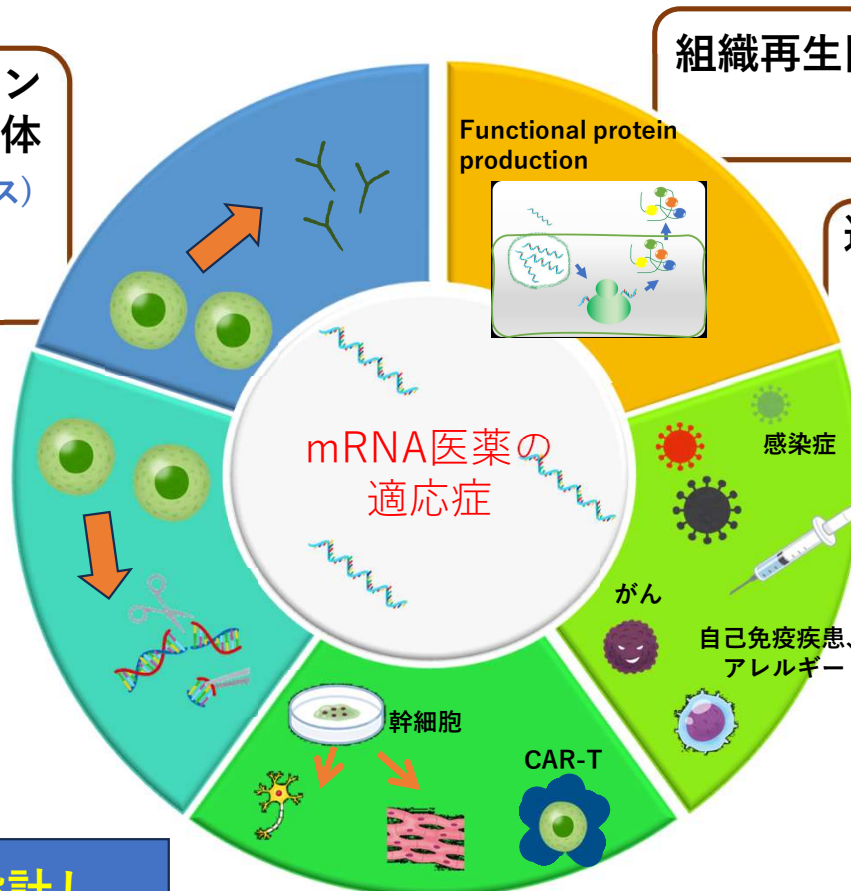
グループ企業で強力な創薬バリューチェーンを構築



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、収入を得るビジネスモデル

mRNA医薬：広範な適応 — 世界現状：2024年 —



mRNAエンコード抗体
 mRNA-1944 (チクングニアウイルス) P1 POPA
 BNT-142 (CD3/CLDN6) P1

組織再生医療 心血管系治療
 AZD8601 VEGF P2 POC
 mRNA-0184 Relaxin P1

遺伝性疾患
 mRNA-3927 プロピオン酸血症 P2 POC
 mRNA-3705 メチルマロン酸血症 P2 POC

ゲノム編集
 NTLA-2001 ATTRアミロイドーシス P2 POC

感染症：
 mRNA-1010 (インフルエンザ) 等が近々上市見込み

ワクチン

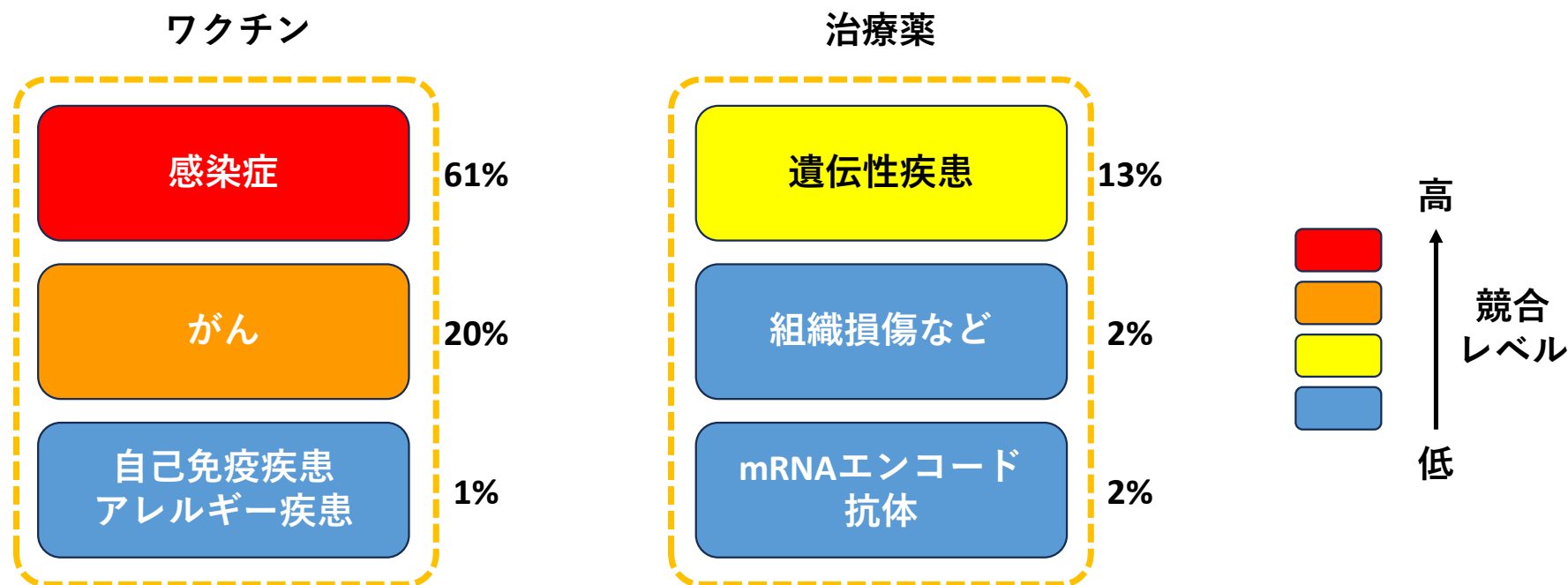
がん：
 mRNA-4157 ネオ抗原ワクチン Keytruda併用 P3 (メラノーマ他)

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

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

細胞医療
 様々なmRNA CAR-Tなどが開発中

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”



パイプラインの状況

パイプライン



創薬領域	疾患	分子標的	シート	非臨床			臨床P1	パートナー
組織再生	変形性膝関節症	RUNX1						アクセリードHD
	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

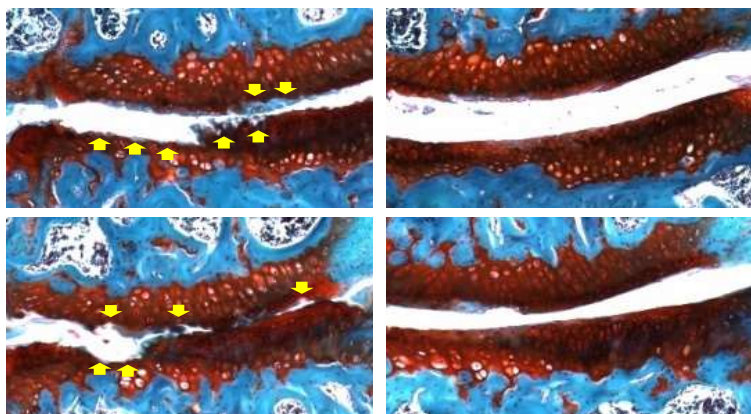


- 軟骨の再生を促進する転写因子RUNX1のmRNAのDDS製剤を膝関節内に投与する変形性膝関節症の疾患修飾薬(DMOAD)
- 東京医科歯科大学・位高啓史先生との共同研究開発(AMED CiCLEに採択)
- 自社特許保有

RUNX1 mRNA治療後の膝軟骨組織像

対照群

RUNX1 mRNA投与群

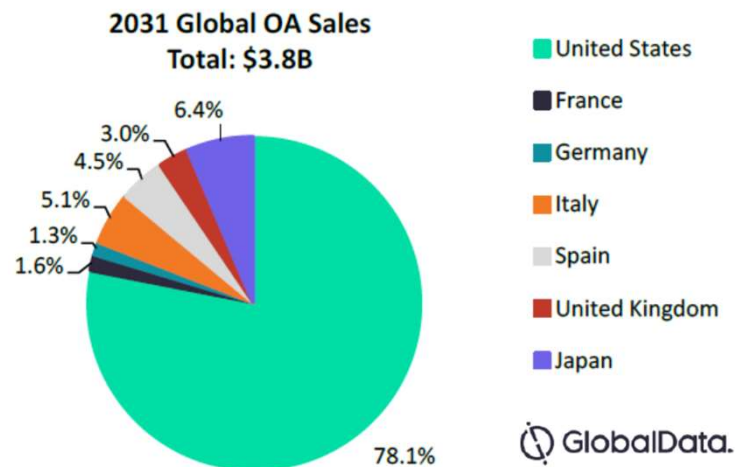


対照群では関節軟骨表面のめくれ・変性・摩耗が認められる一方、RUNX1 mRNA投与群では、抑制されている

Major drivers of growth in the OA market:

- The launch of drugs with novel mechanisms of action (MOAs) and disease-modifying effects will shift the treatment regimen.
- The OA patient population will continue to grow due to the aging population and the increasing prevalence of obesity.
- Recent improvements in imaging techniques will facilitate the development of DMOADs and encourage early intervention.

etc.



2024年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。

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™ を用い、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。

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



- 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ファースト・イン・クラス抗がん剤(対象疾患：膠芽腫)
- 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)

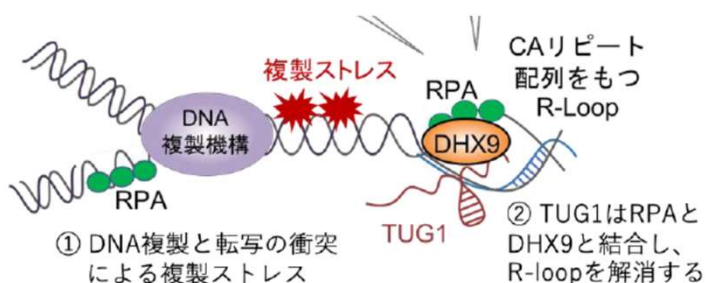
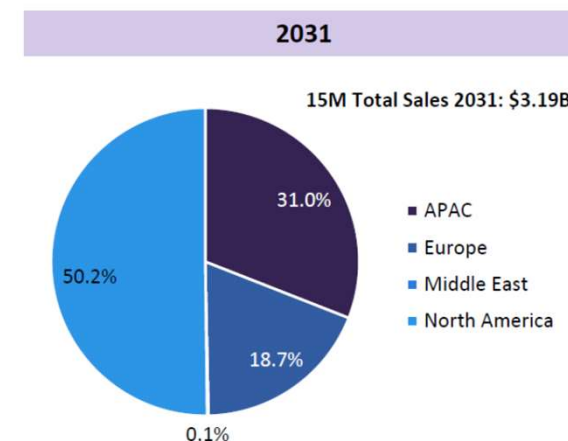
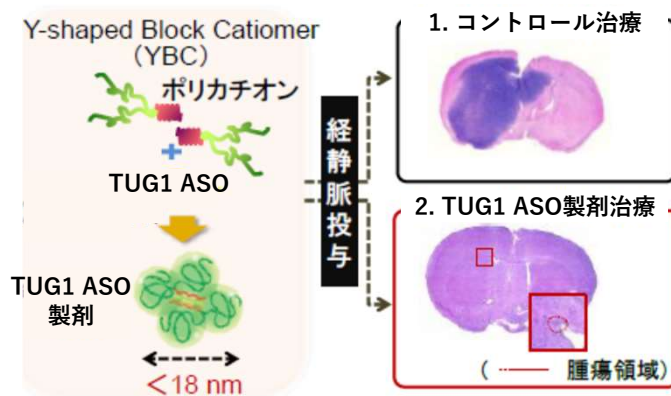


図2 複製ストレスによって発現上昇するTUG1はR-loopを解消する



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

Global leader for “mRNA for health”



2024年3月期 決算概要
2025年3月期 業績予想

2024年3月期 損益計算書



(単位：百万円)	2023年3月期 連結実績 (累計)	2024年3月期 連結予想 A (累計)	2024年3月期 連結実績 B (累計)	増減 B - A
売上高	202	135	135	0
売上原価、販売費及び一般管理費	1,448	1,115	999	▲116
内：研究開発費	1,120	758	647	▲111
営業（損失）利益	(1,246)	(979)	(864)	115
営業外収益/（費用）ネット	141	96	114	18
経常（損失）利益	(1,104)	(883)	(749)	134
当期（純損失）純利益	(1,310)	(945)	(780)	165

業績予想からの研究開発費減少要因

パイプラインPRDM14、RUNX1他の研究開発費発生時期の期ずれ等

2024年3月期 貸借対照表



(単位：百万円)	2023年3月31日 (A)	2024年3月31日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	4,443	4,277	▲166
その他流動資産	225	184	▲41
固定資産	1,115	609	▲506
資産合計	5,784	5,071	▲713
転換社債型新株予約権付社債	1,108	1,108	0
その他負債	422	540	118
純資産	4,253	3,421	▲832
資本金及び資本剰余金	5,618	5,665	47
利益剰余金	(1,371)	(2,151)	▲780
その他有価証券評価差額金	4	(108)	▲112
新株予約権	2	15	13
負債・純資産合計	5,784	5,071	▲713

実施中の資金調達の概要（リファイナンス及び新規発行）



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） ⇒ 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
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
（株式会社ウィズ・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
（株式会社ウィズ・パートナーズ）

実施中の資金調達の概要（新規発行）



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

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)



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