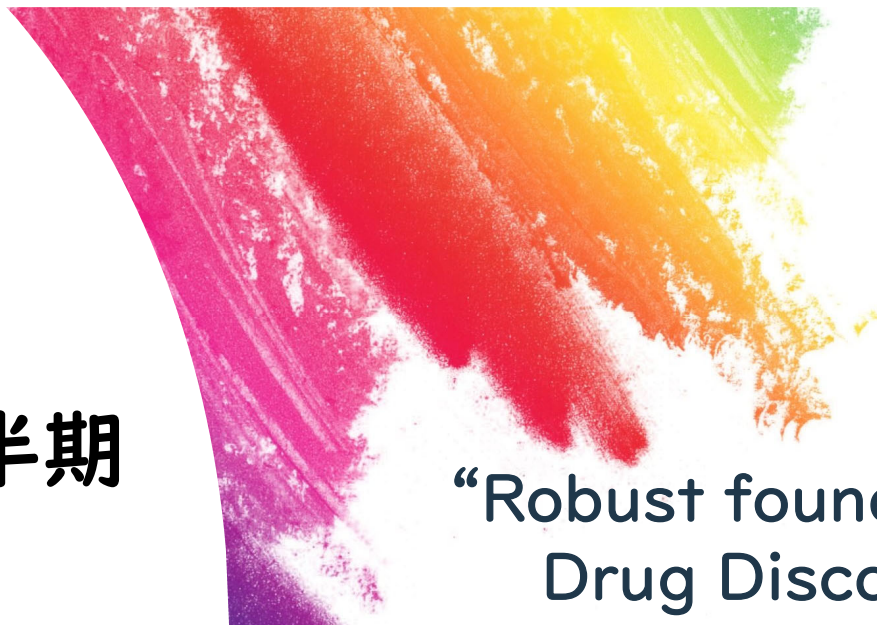


東証グロース  
4571

# 2025年3月期第2四半期 (中間期) 決算説明会

NANO MRNA 株式会社  
代表取締役社長 秋永士朗

2024年11月15日(金)



“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。

# 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 神奈川県藤沢市村岡東(湘南iPARK), 神奈川県川崎市川崎区殿町 (iCONM)
子会社	株式会社 PrimRNA NanoCarrier US Danville, VA
資本金	166 百万円 (2024年9月30日現在)
発行済株式総数	70,625,458 株 (2024年9月30日現在)
役職員	28名 (2024年9月30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 (株式会社ウイズ・パートナーズ 代表取締役社長CEO)
取締役(社外)	長谷川由紀 (株式会社ウイズ・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 (株式会社ウイズ・パートナーズ マネージング・ディレクター)

## 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医薬の知的財産 (IP) 創出とライセンスアウトのサイクルを確立

### NANO MRNAのプラットフォーム

#### mRNA創薬の パイオニア

- ◆ mRNA治療薬の開発実績をもつ唯一の国内企業
- ◆ mRNA治療薬の開発候補品を複数保有
- ◆ mRNA治療薬の開発に必要なバリューチェーンを保有  
アクセリード(株)※との資本業務提携により、mRNA医薬の創薬プラットフォームを構築
- ◆ 経験に基づく多様なDDS (Drug Delivery System:薬物送達技術) の選択オプション

- ◆ 自社および企業やアカデミアとの協働により、mRNA治療薬に関する知的財産 (IP) を創出し、ライセンスします
- ◆ 国内外の企業からmRNAワクチンやmRNA医薬の研究開発を受託します

※アクセリード(株)：アクセリードドラッグディスカバリーパートナーズ (ADDP) ・アルカリスなどを保有するHD企業

Global leader for “mRNA for health”



ビジネスモデルとmRNA医薬開発市場環境

# 高品質なバリューチェーンとmRNA創薬導出モデル



製薬企業  
非製薬企業



バイオベンチャー  
アカデミア

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



AXCELEAD

※GMP製造/薬理・動態試験など(資本業務提携)

フレキシブルなmRNA創薬の協創・共創モデルを通じてパートナーの拡大中

## ①協業モデル

企業共同研究

・持込型/提案型/ジョイントベンチャー型



## ②創薬ベンチャーモデル

当社オリジナル品目

アカデミアとの協働 (共同研究/インライセンス)



## ③受託モデル

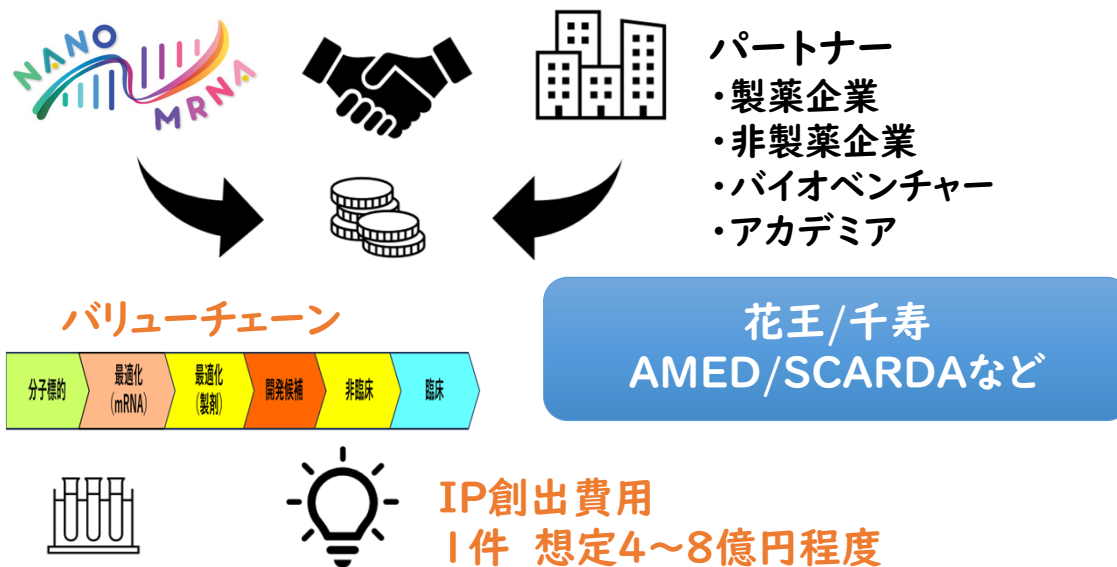
企業/アカデミア等からの創薬委託



# 収益モデル



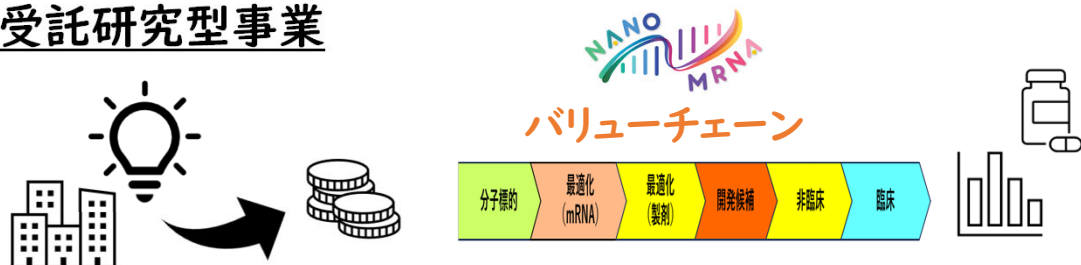
## 協業型・創薬ベンチャー型事業



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: COVID-19ワクチンから疾患治療薬へ



## COVID-19ワクチン

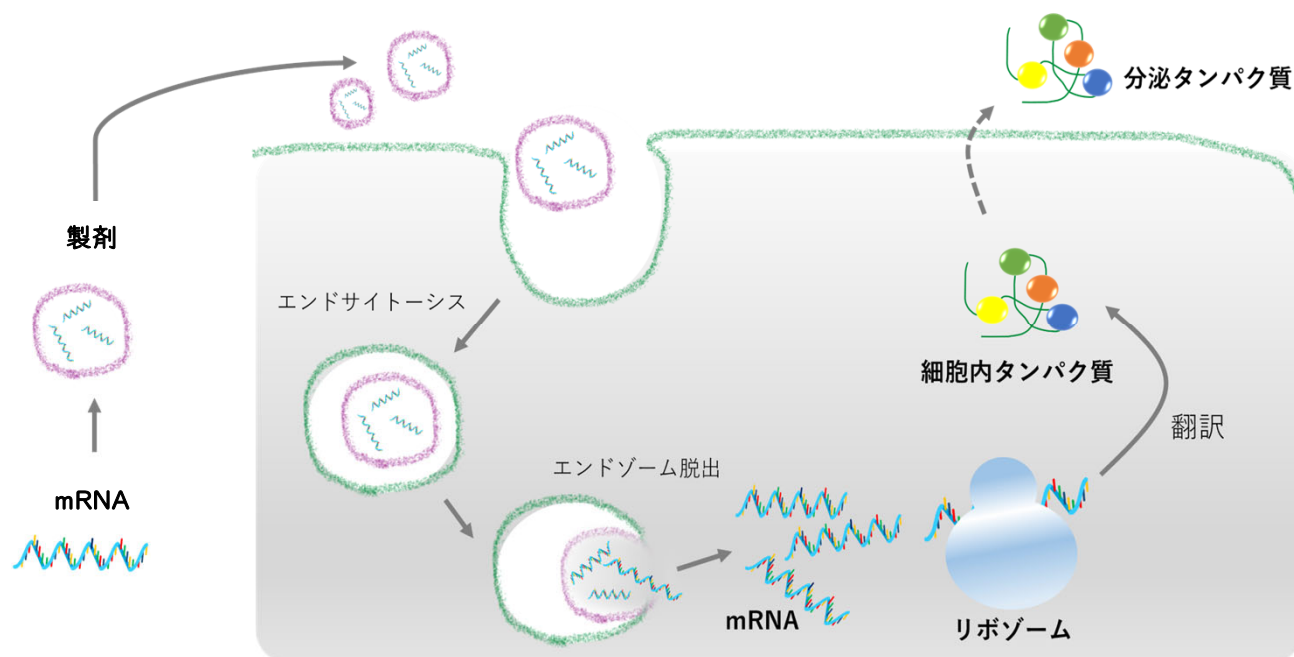
- コロナウイルスの一部 (スパイクタンパク質) のmRNAを脂質ナノ粒子 (LNP) で包んで投与
- 体内でスパイクタンパク質が作られ免疫反応が起こり、感染を予防する

## 治療薬

- 病気の治療に役立つタンパク質のmRNAを投与
- 体内で治療に役立つタンパク質が作られ、疾患を治療する

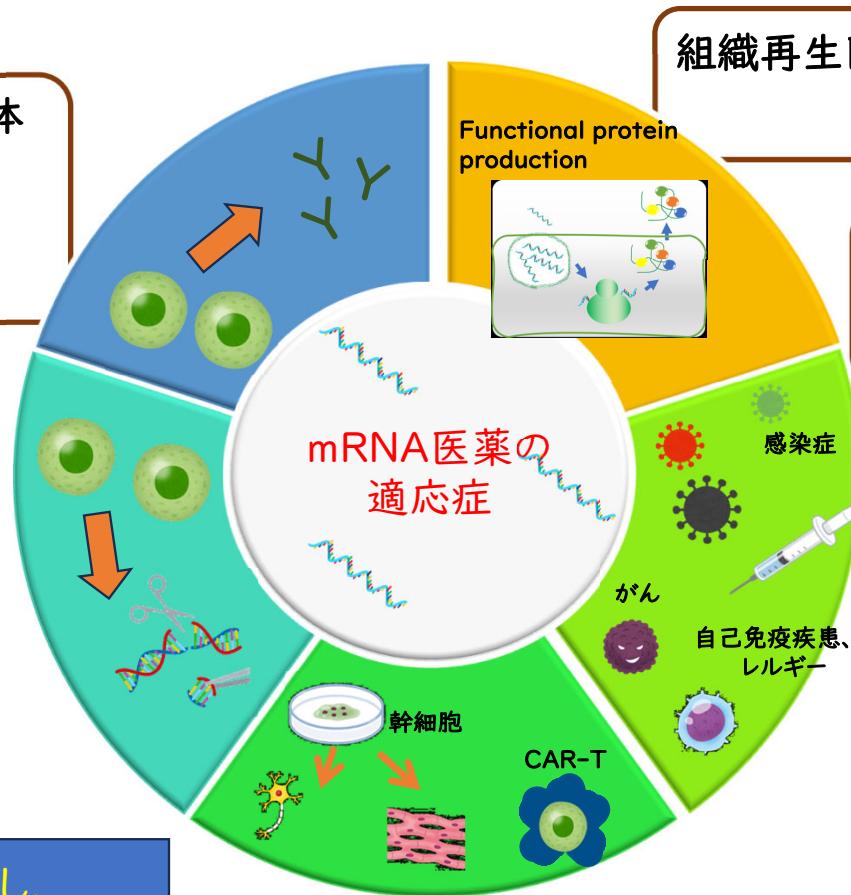
## mRNA創薬のポイント

- 標的に対し**適切**なmRNAを設計
- 標的組織を**考慮**したDDSの利用





# mRNA医薬: 広範な適応 – 世界現状: 2024年 –



**mRNAエンコード抗体**

mRNA-1944 (Chiku) PI POPA  
BNT-142 (CD3/CLDN6) PI

**組織再生医療**

**心血管系治療**  
AZD8601 VEGF P2 POC  
mRNA-0184 Relaxin PI

**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  
Cystic fibrosis CFTR mRNA 4 pipelines  
Arcturus, Vertex, Sanofi, ReCode

**ゲノム編集**

NTLA-2001 ATTR P2 POC  
VERVE-101 PSCK9 ASCVD PI  
BEAM-301 GSD1a R38C PI

**ワクチン**

**感染症**  
mRNA-1345 (RSV) FDA承認  
mRNA-1010 (Flu) PIII success  
mRNA-1083 (Flu/Covid) PIII

**がん**  
mRNA-4157 (Neoantigen) PIII  
BNT112 (Neoantigen) PII  
BNT111 (FicVac) PII

**Immune-tolerance Vaccines**

**細胞医療**

Descartes-08 BCMA mRNA  
CAR-T MG P2

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



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	開発品目	シード			非臨床	臨床PI	パートナー
組織再生	変形性膝関節症	RUNXI mRNA					東京科学大学  CiCLE	
	皮膚アンチエイジング	F (mRNA)					自社オリジナル	
	眼科疾患	C (mRNA)					SENJU	
ワクチン	アレルギー疾患	B (mRNA)					kaO	
	アレルギー疾患	G (mRNA)					kaO	
	自己免疫疾患	H (mRNA)					kaO	
がん	膠芽腫	TUGI ASO				DL3 (最大4)	名古屋大学 	
	乳がん	PRDM14 siRNA				登録完了	慶応大学	

DL: Dose Level (投与量レベル)

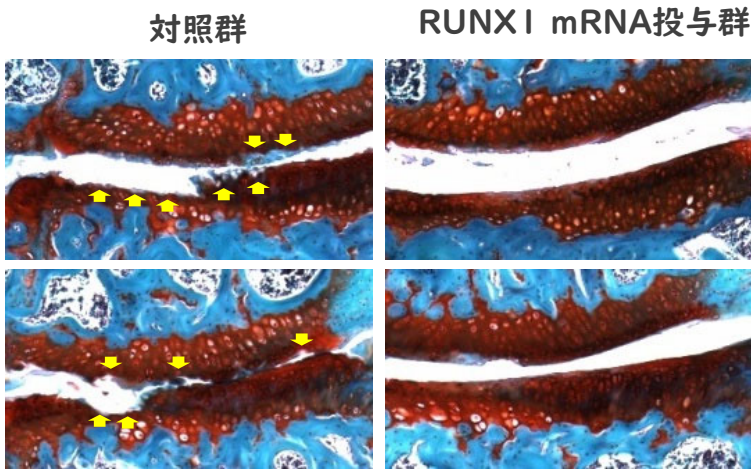
# RUNX1 mRNA: 転写因子RUNX1のmRNA/DDS製剤



## 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
- 東京科学大学・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

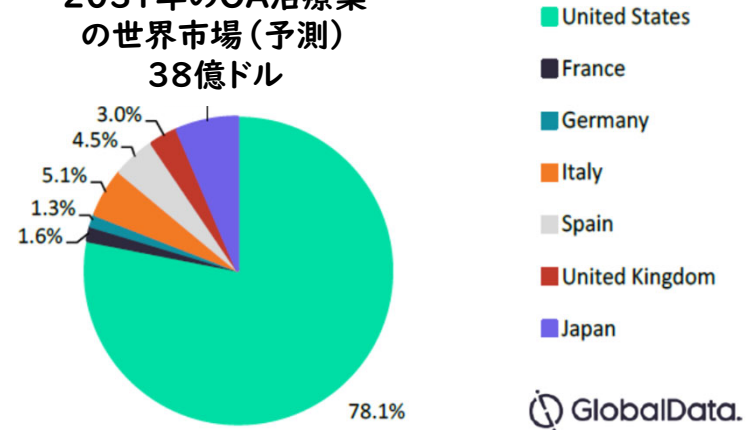


対照群では関節軟骨表面のめくれ・変性・摩耗が認められる一方、RUNX1 mRNA投与群では、抑制されている

### 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

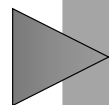


2024年度2H 医師主導治験開始予定

# mRNAを用いた皮膚のアンチエイジング療法開発への取り組み



皮膚の老化に伴い、  
見た目の変化が著しく現れる

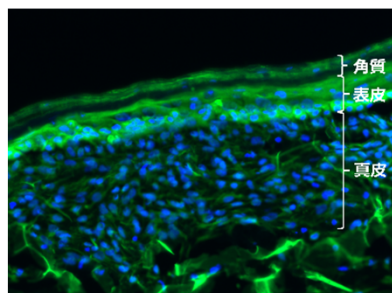


潤いやツヤがなくなる「乾燥」  
年齢が現れる「シワ」  
重力に負ける「たるみ」  
加齢とともに増加する「シミ」

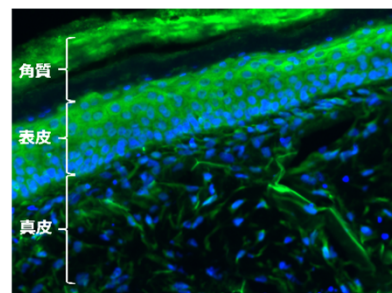
## 培養皮膚モデルでの目的タンパク質の発現

通常皮膚モデル

加齢皮膚モデル



(x 20倍)



(x 20倍)

(緑：標的分子；青：細胞核)

加齢状態(右)では、真皮内の緑色で染色されるタンパク質の発現が通常状態(左)に比べて明らかに低下しており、このことが皮膚の老化の原因の一つと考えられます。

そこで、加齢状態で低下している緑色で染色される目的タンパク質のmRNAを真皮に届けることで、加齢状態の皮膚を通常の状態に戻し、肌を若返らせるアンチエイジング療法が実現されます。

独自に皮膚の老化をターゲットとして、AIを活用して複数の候補たんぱく質のmRNAをデザイン。ヒト皮膚細胞を用いたスクリーニングにより、皮膚のアンチエイジングに有用なたんぱく質の発現を誘導するmRNA医薬候補を見出すことに成功。さらなる最適化に取り組み、開発品としてブラッシュアップを進めるとともに、他の開発候補創出に向けたmRNAのデザインとスクリーニングを継続しラインアップ強化を進める。



# 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)

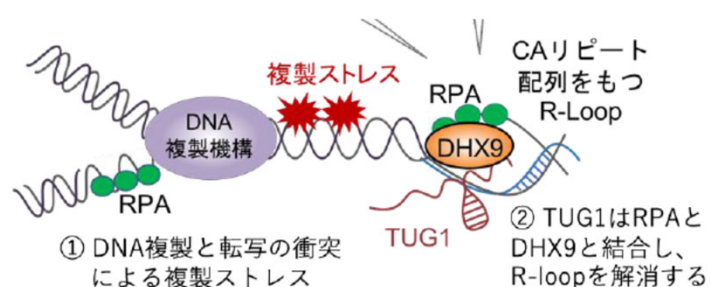
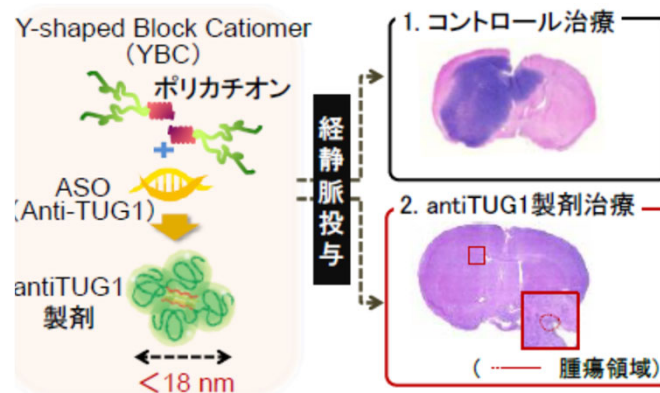
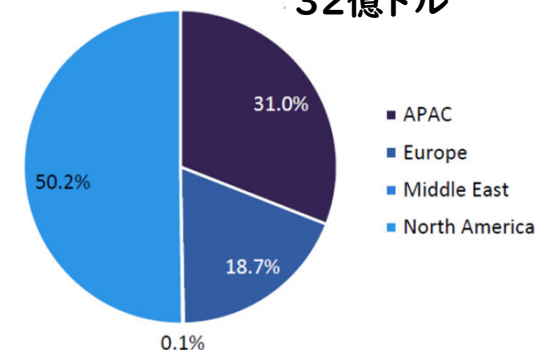


図2 複製ストレスによって発現上昇するTUG1はR-loopを解消する



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。4段階に設定した用量漸増試験の第3段階まで到達  
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

# 千寿製薬と共同研究を開始



2024年8月9日

NANO MRNA 株式会社  
代表取締役社長 秋永 士朗  
(4571 東証グロース)  
問合せ先 IR担当 土屋 千映子  
電話番号 03-6432-4793

## 千寿製薬株式会社との mRNA 医薬品創薬に向けた共同研究契約を締結

mRNA 創薬の非臨床開発に特化し価値ある IP を創出する NANO MRNA 株式会社（代表取締役社長 秋永士朗）とユニークな発想と研究開発力を持つ眼科領域のスペシャリティファームである千寿製薬株式会社（代表取締役社長 吉田周平、以下「千寿製薬」）は、眼科疾患を対象に mRNA 創薬に関する共同研究契約を締結しましたのでお知らせいたします。

当社は千寿製薬と 2021 年から、mRNA を用いる眼科疾患治療薬創製について基礎的な検討を進めてまいりました。この度、眼科領域における mRNA 医薬に適した標的分子および標的疾患の選定に至りましたので共同研究を開始いたします。

# 花王と新たな取り組みを開始



2024年10月8日

NANO MRNA 株式会社  
代表取締役社長 秋永 士朗  
(4571 東証グロース)  
問合せ先 IR担当 土屋 千映子  
電話番号 03-6432-4793

## 花王株式会社と新たな取り組みに関する合意のお知らせ

当社と花王株式会社（以下、「花王」）は、皮膚領域に関する新しい取り組みを開始することについて合意しましたのでお知らせいたします。

2023年11月14日に既報の通り、当社と花王はアレルギー疾患を対象とする治療用ワクチンの共同研究を開始しており、現在3つの開発候補品目に拡充され研究が進んでおります。この度、新たな取り組みとして、皮膚領域事業の可能性を検討してまいります。



## Global leader for “mRNA for health”



2025年3月期 中間期決算概要  
2025年3月期 業績予想(修正)

## 2025年3月期中間期 損益計算書



(単位:百万円)	2024年3月期 中間期実績累計 (連結)	2025年3月期 中間期実績累計 (連結)	増減
売上高	91	7	(83)
売上原価、販売費及び一般管理費	593	380	(213)
内:研究開発費	387	172	(214)
営業(損失)利益	(518)	(373)	144
営業外収益/(費用)ネット	47	(8)	(55)
経常(損失)利益	(471)	(382)	89
当期(純損失)純利益	(477)	(518)	(40)

## 2025年3月期中間期 貸借対照表



(単位:百万円)	2024年3月31日	2024年9月30日	増減
現預金、運用債券等(手許流動性)	4,277	4,083	(194)
その他流動資産	184	159	(25)
固定資産	609	496	(113)
資産合計	5,071	4,739	(332)
転換社債型新株予約権付社債	1,108	1,108	0
その他負債	540	573	33
純資産	3,421	3,057	(364)
資本金及び資本剰余金	5,665	5,713	48
利益剰余金	(2,151)	(2,669)	(518)
その他有価証券評価差額金	(108)	(1)	107
新株予約権	15	15	0
負債・純資産合計	5,071	4,739	(332)

## 2025年3月期中間期 キャッシュフロー計算書



(単位:百万円)	2024年3月期 中間期実績累計 (連結)	2025年3月期 中間期実績累計 (連結)	増減
営業活動によるキャッシュフロー	(330)	(268)	62
投資活動によるキャッシュフロー	406	1,601	1,195
財務活動によるキャッシュフロー	3	+0	(3)
現金及び現金同等物の増減額	127	1,308	(72)
期首残高	1,309	1,575	1,180
期末残高	1,437	2,883	1,446

### 営業CF

- ・税金等調整前当期純損失 △517百万円、投資有価証券評価損の計上 +134百万円  
前受金(補助金)の増加額 +57百万円

### 投資CF

- ・有価証券(社債)の償還による収入 +1,000百万円、定期預金の解約による収入 +502百万円

## 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 期初予想(連結)	2025年3月期 修正予想(連結)	増減
売上高	135	51	108	57
売上原価、販売費及び一般管理費	999	1,294	967	(292)
内:研究開発費	647	929	561	(368)
営業(損失)利益	(864)	(1,242)	(893)	349
経常(損失)利益	(749)	(1,192)	(856)	336
当期(純損失)純利益	(780)	(1,206)	(994)	211

### 2025年3月期通期業績予想(連結)の修正

- 売上高
  - ・化粧品原料販売が当初計画を上回る見込み
  - ・mRNA医薬品の創製に関する受託研究事業の売上を追加
- 研究開発費
  - ・第2四半期までの実績及び各プロジェクトの進捗等をふまえ修正



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