

【表紙】

【提出書類】 四半期報告書

【根拠条文】 金融商品取引法第24の4の7条1項

【提出先】 関東財務局長

【提出日】 2014年12月12日

【四半期会計期間】 自 2014年7月1日 至 2014年9月30日

【会社名】 メディシノバ・インク  
(MediciNova, Inc.)

【代表者の役職氏名】 代表取締役社長兼CEO  
岩 城 裕 一  
(President and Chief Executive Officer)

【本店の所在の場所】 アメリカ合衆国カリフォルニア州ラ・ホイヤ、スウィート  
650、エグゼクティブ・スクエア4275  
(4275 Executive Square, Suite 650, La Jolla,  
California, U.S.A.)

【代理人の氏名又は名称】 弁護士 梅 津 立

【代理人の住所又は所在地】 東京都港区元赤坂一丁目2番7号 赤坂Kタワー  
アンダーソン・毛利・友常法律事務所

【電話番号】 (03)6888 - 1000

【事務連絡者氏名】 弁護士 青 柳 良 則 / 馬 場 健 太

【最寄りの連絡場所】 東京都港区元赤坂一丁目2番7号 赤坂Kタワー  
アンダーソン・毛利・友常法律事務所

【電話番号】 (03)6888 - 1000

【事務連絡者氏名】 弁護士 青 柳 良 則 / 馬 場 健 太

【縦覧に供する場所】 株式会社東京証券取引所  
(東京都中央区日本橋兜町2番1号)

- (注1) 本書において、別段の記載がある場合を除き、以下の用語は以下に記載する意味を有しております：  
「発行会社」、「当社」、「メディシノバ社」又は「メディシノバ・インク」：メディシノバ・インク
- (注2) 別段の記載がある場合を除き、本書に記載の「円」は日本の通貨、「ドル」、「米ドル」はアメリカ合衆国の通貨を指すものとします。
- (注3) 本書において便宜上記載されている日本円への換算は、別段の記載がある場合を除き1米ドル=118.23円(2014年11月28日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客電信直物売買相場の仲値)により計算されております。
- (注4) 本書中の表で計数が四捨五入されている場合、合計は計数の総和と必ずしも一致しないことがあります。
- (注5) 本書には、リスク及び不確実性を伴う将来の見通しに関する記述が含まれております。これらの将来の見通しに関する記述は、第2「企業の概況」2「事業の内容」、第3「事業の状況」1「事業等のリスク」、及び、同3「財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析」の各項に含まれております。これらの記述は、当社の実際の業績を、将来の見通しに関する記述によって明示又は黙示されている将来の業績とは大幅に異なるものとする可能性のある既知及び未知のリスク、不確実性、及びその他の要因に関するものであります。
- 将来の見通しに関する記述は、「～うる」、「可能性がある」、「予定である」、「意図する」、「～であろう」、「～かもしれない」、「場合がある」、「～と思われる」、「予想する」、「～と考える」、「見積もっている」、「予測する」、「潜在的な」、「計画する」などの語句、又はこれらの否定形、及び将来の見通しに関する記述であることを認識することを意図したこれらに類する表現によって識別できる場合があります。これらの記述は、将来の事由に関する当社の現在の見解を反映しており、仮定に基づいており、またリスク及び不確実性を伴います。このような不確実性に鑑み、投資家はこれらの将来の見通しに関する記述を過度に信頼すべきではない場合があります。これらの将来の見通しに関する記述は、本書の提出日現在に限っての当社の見通し及び仮定を示したものであります。当社は、米国証券法により要求されない限り、新情報、将来の事象その他のいずれによるかを問わず、いかなる将来の見通しに関する記述も更新することを予定しておりません。
- 投資家の皆様には、当社の実際の将来の業績は、当社の予想とは大幅に異なりうることを理解した上で、本書を熟読していただきたいと存じます。当社は、その将来の見通しに関する記述のすべてを、上記の注意書きによる条件付のものとしております。

## 第一部【企業情報】

### 第1【本国における法制等の概要】

#### 1【会社制度等の概要】

##### (1) 提出会社の属する国・州等における会社制度

当四半期会計期間において、アメリカ合衆国及び同国デラウェア州における会社制度に重要な変更はありませんでした。

##### (2) 提出会社の定款等に規定する制度

次の「株式資本について」の項に記載する発行済普通株式数に関する事項及び「オプション」の項に記載するオプション数を除き、当四半期会計期間において、当社の定款等に規定する制度に重要な変更はありませんでした。

#### 株式資本について

取締役会は、発行される各シリーズの株式数、議決権（無制限、制限付き若しくは議決権無し）、並びに当該シリーズ株式に係る指定権、優先権、及びこれに関連する参加権、選択権その他の特別の権利、またその資格、制限若しくは制約を定めることについて、明示的な権限を有しています。

当社の授権株式数は、1株当たりの額面価格0.001米ドルの普通株式100,000,000株及び1株当たりの額面価格0.01米ドルの優先株式3,000,000株であります。2014年9月30日現在、登録された株主が保有する発行済普通株式数は24,177,317株、及び株主が保有する発行済の無議決権転換権付クラスB優先株式数は220,000株でありました。

#### 普通株式

各発行済普通株式は、適式かつ有効に発行され、全額払込済み及び追徴不能株式であります。

普通株式の株主は以下の権利を有しておりますが、その時点における発行済優先株式に適用される優先権には従うこととなります。

#### 配当

当社の発行済普通株式の株主は、取締役会の随時の決定により、配当金の支払に充てることが法律上可能な資産から配当金を受け取る権利を有します。但し、当社の発行済優先株式の保有者の優先配当権に劣後します。

#### 議決権

普通株式の各株主は、株主による議決権行使の対象である全ての事項（取締役の選任を含みます。）に関し、その保有する普通株式1株につき1個の議決権を有します。当社の基本定款には、取締役の選任に関する累積投票の規定は設けられておりません。つまり、行使された議決権の過半数を有する株主が当該時点における現行取締役を全員選任できることとなります。

#### 先買権、転換及び償還

当社の普通株式には先買権は付与されておらず、転換及び償還はできません。

#### 清算及び解散

清算又は解散する際、普通株式の株主は、負債及び優先株式の優先的分配権に基づく支払を全てなした後の会社の全ての残余資産の一切を、その保有する株式の数に比例して受領する権利を有しております。

#### オプション

2014年9月30日現在、合計3,257,969株の普通株式を購入するオプションが未行使のままです。そのうち、( )合計2,428,969株の普通株式を購入するオプションが、改訂再表示2004年ストック・インセンティブ・プラン(「2004年プラン」)に基づくものであり、( )合計829,000株の普通株式を購入するオプションが、2013年エクイティ・インセンティブ・プラン(「2013年プラン」)に基づくものです。これらのオプションは、各オプションが付与されたストック・インセンティブ・プランのロックアップに関する条項に従います。

2013年6月14日開催の定時株主総会において、2013年プランが株主により承認されました。2013年プランの導入後は、2004年プランによるオプションの付与はなされません。2013年プランにおいて、当社は、(i)2,500,000株及び(ii)2004年プランのもとで付与された未行使の報酬の対象株式であって、2013年プランの発効日以降、何らかの理由により行使前若しくは決済前に期間満了となるか若しくは終了し、当該株式につき権利確定がなされずに執行し、当初発行価格で買い戻され、又はその他当該報酬に関連する源泉徴収若しくは購入価格に係る義務を履行するために再取得又は留保される株式の合計数を付与することができます。2014年9月30日時点において、2013年プランのもとで付与することができる株式の合計数は、2,554,825株でした。

2013年プランは、取締役会の報酬委員会によって運営され、( )普通株式を購入するオプション、( )普通株式の制限付株式、( )株式評価益権、及び( )株式ユニットの付与を内容としています。インセンティブ・ストック・オプションは、従業員にのみ付与することができます。非適格ストック・オプション及び他の株式に基づく報酬は、従業員、従業員を兼務していない取締役及びコンサルタントにのみ付与することができます。株式ユニットには、議決権はありません。2013年プランの下で付与された株式ユニットには、確定又は失効する前に、報酬委員会の裁量において、配当同価値物を付与することが可能です。株式ユニットは、株式ユニットの内容を決定する株式ユニット契約の条項にしたがった、当社の資金裏付けも保証もない当社の債務を表象します。

2013年プランは、当社の取締役会が早期に終了させない限り、当社の取締役会が最初に採用したときから10年後に失効します。

2013年プランに基づき付与されたストック・オプションは、一般に、当該ストック・オプションを付与するストック・オプション契約の条項に規定された時期及び回数で行使可能となります(このような条項には、適用される保有者の雇用終了後の行使条項も含まれます。)。2013年プランに基づき付与されたオプションは、当初の付与から10年以上経過すると行使できなくなります。

取締役会は、その裁量で2013年プランを改訂できますが、当該改訂により、当初のオプションの付与による個人の権利を大きく損なうことはできません(当該個人の承諾のある場合を除きます。)

## 優先株式

当社の取締役会には、デラウェア州一般会社法に基づく制限に従い、1つ又は複数のシリーズの優先株式3,000,000株を発行し、随時各シリーズに含まれる株式数を設定し、まだ未発行である各シリーズの株式について、その権利、優先権及び特権、並びに、その制限、限定及び制約を決定する権限が付与されています。また、当社の取締役会は、当社の株主による追加の議決権行使又は行為なしに、あらゆるシリーズの株式数を増減できます。但し、その数は当該時点における当該シリーズの発行済株式数を下回ってはならないとされています。

当社の取締役会は、当社の普通株主の議決権その他の権利に悪影響を及ぼす議決権付又は転換型償還優先株式の発行を決定できます。優先株式の発行は、今後実施される可能性のある買収、資金調達その他の会社目的に関連して柔軟性を与えるものの、かかる発行によって支配権の変更を遅延、延期又は阻止する効果があり、また当社普通株式の市場価格の下落又は議決権その他普通株主の権利を損なうおそれがあります。

## 株主総会

### 開催場所

株主総会は、附属定款により指定されるか若しくは附属定款が定める方法に従って指定されたデラウェア州内部若しくは外部の場所、又はかかる指定がなされなかった場合には当社の登録事務所若しくは当社の主な営業所で開催することができます。

### 年次株主総会

年次株主総会は、取締役会又はチーフ・エグゼクティブ・オフィサー(「CEO」)が随時指定し、招集通知に記載された日時に毎年開催されます。株主は、一般に、当該総会において任期が終了するクラスの取締役と同数の取締役を選任するほか、株主総会に適式に提出されたその他の検討事項の決議を行います。

### 臨時株主総会

臨時株主総会は、目的の如何を問わず、法令又は基本定款に別段の定めがある場合を除き、取締役会長、CEOの請求又は取締役会の過半数の賛成により適式に承認された決議に基づき、セクレタリーがこれを招集することができます。上記の請求においては、提案された臨時株主総会の目的が表明されなければなりません。臨時株主総会で討議される事項は、招集通知に記載された目的に関連する事項に限定されます。

## 招集通知

法律に別段の定めがある場合を除き、各株主総会（年次又は臨時を問いません。）の書面による通知について、開催場所（もしあれば）、開催日時、遠隔通信手段（もしあれば。かかる遠隔通信手段により株主及び委任状保有者本人が当該株主総会に出席して投票したものとみなされます。）、及び（臨時株主総会の場合には）招集される臨時総会の目的が記載された上で、当該株主総会の10日以上60日前までに当該株主総会において議決権を有する各株主に送付されます。株主総会が他の場所、日時に延会となった場合であっても、延期された株主総会の会日が、延会が最初に通知された日から30日を超えず、かつ延期された総会の開催場所、日時が、延会の決定された株主総会において通知されている場合は、延期された株主総会について通知を発する必要はありません。

## 定足数

法律又は当社の基本定款が別に定める場合を除き、発行済議決権付株式の過半数の保有者の本人又は代理人による出席をもって、株主総会における定足数とします。

## 延会

株主総会は、出席株主の過半数の賛成により（定足数を下回っても構いません。）、また、いずれの株主も本人又は代理人によって出席していない場合には、当該株主総会の議長又はセクレタリーとして行為する権限を有する役員により、当該総会における公表以外の通知をすることなく、附属定款に従って株主総会を開催することのできる日時及び場所（かかる日時及び場所は当該総会において公表されます。）に、定足数が出席するまで、随時延期されることができます。定足数が出席した延会においては、当初の株主総会において検討される可能性のあった一切の事項が討議されます。延会が30日を越える場合、又は延会後に延期された株主総会のために新たな基準日が設定された場合には、延期された株主総会の通知が、延期された当該株主総会において議決権を有する株主名簿上の各株主に送付されます。

## 議決権

当社の基本定款に別段の定めがある場合を除き、各株主は、各株主総会において当該株主が保有する議決権付株式1株につき1票の議決権を有します。

株主総会に定足数が出席した場合、株主の過半数の投票により、当該株主総会に提出された議題を決します。但し、当該議題が、法令又は当社の基本定款若しくは附属定款の明文の規定により異なる議決数によることが必要となる議題である場合は、当該議題の決議はかかる明文の規定に従うものとします。当社の年次又は臨時株主総会において採択されることが要求又は許可されているいかなる決議も、株主総会を経ずに採択することはできず、かつ株主総会を経ずに書面で決議の採択に同意する株主の権限はこれを明確に否定します。

## 株主通知及び議決権の基準日

株主総会若しくはその延会の招集通知を受ける株主、当該株主総会若しくは延会における議決権を有する株主、配当その他の配分の支払若しくは権利の割当てを受ける株主、又は株式の変更、転換若しくは交換に関して権利行使できる株主を決定し、又はその他の適法行為を実施するため、取締役会は、事前に基準日を設定することができます。かかる基準日は、当該総会の期日の10日以上60日前の日でなければならず、当該基準日に関連するその他の行為の60日前でなければなりません。株主総会の招集通知を受ける株主又は当該総会における議決権を有する株主名簿上の株主の決定については、当該株主総会の延会にも適用されます。

## 取締役会

数、選任、任期及び資格

取締役会全体を構成する取締役の人数は、現在6名です。但し、取締役会全体を構成する取締役の人数は、取締役会全体の過半数が採択した決議により随時固定されます。取締役会全体を構成する取締役のクラスは、当社の基本定款に定められます。

取締役は、附属定款において別に定められる場合を除き、年次株主総会において選任されるものとし、選任された各取締役は、3年間かつ当該取締役の後任者が選任されその資格を授与されるまで、又はそれ以前に死亡、辞任若しくは解任されるまで、在職します。

#### 権限

当社の事業は、取締役会の指示により又は基づき運営され、取締役会は、法令又は当社の基本定款若しくは附属定款において、株主により行使又は実施することが指示又は要求されている行為及び事項以外の、当社の一切の権限を行使し、かつ、一切の適法行為及び事項を実施することができます。

#### 取締役会の開催場所

取締役会は、デラウェア州内部又は外部のいずれかにおいて、定時及び臨時に会議を開催することができます。

#### 定時取締役会

定時取締役会は、取締役会が随時決定する時間及び場所で通知をせずに開催することができます。但し、かかる決定が行われた時に欠席していた取締役に対して、当該決定について速やかに通知を行わなければなりません。

#### 臨時取締役会

臨時取締役会は、取締役会長、CEO、プレジデント若しくはセクレタリー、2名以上の取締役の書面による要求、又は在任する取締役が1名の場合には1名の取締役によって、これを招集することができます。臨時取締役会開催の日時及び場所（もしあれば）についての通知は、各取締役への手渡し若しくは電話、又は送料前払いをもって、第一種郵便、商業配達サービス、ファクシミリ、電子メールその他の電子的手段により当社の名簿上に記載された当該取締役の営業所又は住所に送付されることによってなされます。当該通知が郵送される場合、当該通知は、臨時取締役会開催の少なくとも4日前に米国の郵便に投函されなければなりません。当該通知が手渡し若しくは電話、又は商業的配達サービス、ファクシミリ、若しくは電子メールその他の電子的手段によりなされる場合、当該通知は臨時取締役会の開催の少なくとも24時間前になされなければなりません。取締役会の通知又は通知の省略書には、当該会議の目的を記載する必要はありません。

#### 定足数、取締役会での行為

すべての取締役会は、当該時点で在任している取締役の過半数（但し、いかなる場合も全取締役の3分の1未満であってはなりません。）の出席により、議案の決議の定足数が満たされ、法律又は当社の基本定款が別に定める場合を除き、定足数が出席した取締役会に出席した取締役の過半数の行為が取締役会の行為となります。ここで、「全取締役」との用語は、附属定款に従い取締役が最後に確定した取締役の人数を意味します。

#### 会議を経ない行為

当社の基本定款又は附属定款により別に規制される場合を除き、取締役会又はその委員会において実施することが要求又は許容されている行為は、取締役会又は委員会（場合に応じて）の構成員全員が、書面又は電子的通信により同意し、当該書面又は電子的通信が取締役会又は委員会の手続についての議事録に記録される場合には、会議を経ずに実施することができます。

#### 電話会議

当社の基本定款又は附属定款により別に規制される場合を除き、取締役会又はその委員会の構成員は、出席者全員が相互に応答することができるような電話会議又はあらゆる形態の通信機器により、当該取締役会又は委員会（場合に応じて）の会議に参加することができ、かかる方法による会議への参加は、当該会議への本人による出席となります。

#### 委員会

取締役会は、取締役会全員の過半数により採択された決議により、1つ以上の委員会（各委員会は当社の取締役1名以上により構成されます。）を設置することができます。当該委員会は、取締役会の決議において定められる範囲内で、当社の事業及び業務の運営に際して取締役会が有する一切の権限を有しかつ行使することができ、かつ当社の社印の押印が必要となる一切の書類に当該社印を押印することを許可することができます。

#### 検査権

取締役は、取締役としての地位に合理的に関連する目的のために、当社の株主名簿、当社の株主の一覧表その他の帳簿及び記録を検査する権利を有します。

#### 役員

##### 役員を選任

当社の役員は、取締役会により選任され、CEO（1名）及び/又はプレジデント（1名）、セクレタリー（1名）及びチーフ・フィナンシャル・オフィサー（CFO）及び/又はトレジャラー（1名）から構成されます。また、取締役会は、チーフ・オペレーティング・オフィサー（1名）、ヴァイス・プレジデント（1名以上）及びアシスタント・セクレタリー又はアシスタント・トレジャラー（1名以上）を選任することができます。当社の基本定款又は附属定款に別段の定めがある場合を除き、同一人が複数の役員の地位を兼任することができます。

##### 任期

当社の各役員は、当該役員を選任又は任命する議決において異なる任期が指定されない限り、その後継人が選任されその地位に就任するまで、又は当該役員が任期前に死亡、辞任、解任又は無能力者となるまで、在職します。取締役会又はCEOが任命した役員は、取締役会又は解任権限を適式に授けられた委員会の過半数の賛成により、理由の有無にかかわらずいつでもこれを解任することができます。但し、CEOが任命した役員については、CEOがこれをいつでも解任することができます。当社の役員の地位の欠員は、取締役会がその裁量によりこれを補充することができるものとします。役員は、当社の主たる営業所宛に、又はCEO若しくはセクレタリーに対して書面による辞任の通知を交付することにより辞任することができます。かかる辞任は、当該通知の受理時に効力を生じます。但し、当該辞任の効力発生時が別途定められた場合、又はその他の事由の発生がその効力発生条件として指定された場合はこの限りではありません。

##### 権限の委譲

取締役会は、附属定款の定めにかかわらず、役員の権限又は職務を随時他の役員又は代理人に委譲することができます。

## 2【外国為替管理制度】

当四半期会計期間において、米国における外国為替管理制度に重要な変更はありませんでした。

### 3【課税上の取扱い】

当四半期会計期間において、米国における課税上の取扱いに重要な変更はありませんでした。

## 第2【企業の概況】

### 1【主要な経営指標等の推移】

以下の主要な経営指標等の数値は、当社の連結財務書類(四半期については無監査)から抜粋した数値又は当該連結財務書類に基づいて算出された数値であり、将来の経営成績を表示するものではありません。以下の主要な経営指標等の推移は、当社の連結財務書類及びその注記並びに第3「事業の状況」3「財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析」の項に記載されている情報とともにお読みください。当社は、以下の主要な経営指標等の数値の元となった連結財務書類が、有価証券報告書に含まれる監査済連結財務書類と実質的に同様の基準によって作成されており、表示される期間中における財務情報を適正に表示するために必要な調整がなされているとの見解を有しています。いかなる期間における経営成績も将来において期待しうる経営成績を示すものではありません。以下の数字の単位は、一株当たりデータ、自己資本比率を除き、上段は千米ドル、下段は百万円です。



	2014年 第3四半期連結累計期間	2013年 第3四半期連結累計期間	2013年
連結損益及び包括利益計算書のデータ:			
営業収益	-	3	6,003
	-	0.4	710
営業損失	(6,840)	(7,448)	(4,021)
	(809)	(881)	(475)
四半期(当期)純損失	(6,814)	(7,442)	(4,029)
	(806)	(880)	(476)
基本及び希薄化後1株当たり四半期(当期)純損失	(0.28)ドル	(0.37)ドル	(0.19)ドル
(1)	(33.10)円	(43.75)円	(22.46)円

(1) 1株当たり四半期(当期)純損失(実績及び見積)の算出方法及び1株当たりの数値の計算にあたって使用した株式数の説明については、「第一部 企業情報」「第5 経理の状況」「1 四半期連結財務書類」注記4「一株当たり純損失」をご参照ください。

	2014年 第3四半期連結累計期間	2013年 第3四半期連結累計期間	2013年
連結貸借対照表のデータ:			
資産合計	27,787	26,197	29,546
	3,285	3,097	3,493
株主資本合計	22,985	21,447	25,426
	2,718	2,536	3,006
連結キャッシュ・フロー計算書のデータ:			
営業活動によるキャッシュ・フロー	1,849	(6,625)	(10,646)
	219	(783)	(1,259)
投資活動によるキャッシュ・フロー	(4)	(25)	(37)
	(0.5)	(3)	(4)
財務活動によるキャッシュ・フロー	3,393	13,300	13,371
	401	1,572	1,581
現金及び現金同等物の四半期末(期末)残高	11,937	10,661	6,700
	1,411	1,260	792
その他のデータ:			
1株当たり株主資本(2)	-ドル	-ドル	1.13ドル
	-円	-円	113.60円
自己資本比率(3)	-%	-%	86.1%

(2) 1株当たり株主資本は、四半期末(期末)の株主資本を、四半期末(期末)の普通株式発行済株式数から自己株式数を控除した株式数で除して算定しています。

(3) 自己資本比率は、四半期連結会計期間(連結会計年度)に係る株主資本の額を当該四半期連結会計期間(連結会計年度)に係る資産合計の額で除した割合です。

## 2【事業の内容】

### 概況

当社は、米国市場に商業的な重点を置き、まだ十分に有効な治療法がない重篤な疾患に対する新規の低分子医薬品の開発に特化する生物医薬品会社です。当社は、現在、神経疾患治療薬のMN-166（イブジラスト）、喘息急性発作治療薬のMN-221（ベドランドリン）、NASH（非アルコール性脂肪性肝炎）をはじめとする線維症治療薬のMN-001（ティペルカスト）及び固形癌治療薬のMN-029（デニプリン）の開発活動に重点を置いています。

MN-166（イブジラスト）は、現在、複数の異なる神経疾患について開発中です。当社は、2008年に、多発性硬化症治療薬のMN-166のフェーズ2臨床試験を完了しました。当該臨床試験において安全性及び神経保護効果について良好な指標を得ており、一次進行型及び二次進行型多発性硬化症を適応とする臨床開発プログラムを開始するため、ニューロネクスト共同プロジェクトの試験責任医師との提携に成功し、国立神経疾患脳卒中研究所（NINDS）から資金提供を受けています。当社は2013年7月に、進行型多発性硬化症を適応とするフェーズ2b臨床試験を開始しておりますが、患者登録が2015年第1四半期に完了する見込みです。依存症の分野では、UCLAの試験責任医師は、2012年に、国立薬物乱用研究所（「NIDA」）から資金援助を受け、メタンフェタミン依存症のボランティアを対象としたMN-166のフェーズ1b臨床試験について患者登録を完了しました。2013年6月に、米国薬物依存問題学会の年次総会において同試験の結果が発表されました。2012年9月、当社は、メタンフェタミン依存症を適応としたMN-166の使用に関するフェーズ2臨床試験について、NIDAから承認及び資金援助を獲得したことを公表しました。UCLAとの提携により、当該臨床試験は2013年に開始されました。コロンビア大学及びニューヨーク州精神医学研究所（NYSPI）の試験責任医師は、プラセボ対照二重盲検のオピオイド離脱に関するフェーズ1b/2a臨床試験を2010年に完了しました。当該臨床試験は、NIDAから資金援助を受けていました。コロンビア大学及びNYSPIの試験責任医師は、オピオイド又はヘロイン依存症患者の離脱療法のためのMN-166の効果を評価するため、NIDAから資金援助を受けたプラセボ対照二重盲検フェーズ2臨床試験を開始しました。2014年8月、当社は本臨床試験について、良好な中間解析結果を発表いたしました。なお、本試験の主任責任医師、サンドラ・コマー医師らコロンビア大学及びNYSPIのグループは、今回の良好な中間結果を経て、すでに開始しておりましたマリファナ依存のフェーズ2a臨床試験を中止し、NIDAの資金をすべてオピオイド依存症治療に集中する決定を下しました。また、2014年9月、NIDAは同フェーズ2a臨床試験の完了までをサポートする追加助成金266万米ドルの供与を決定しました。2013年8月、当社は、アルコール依存症を適応としたMN-166の使用に関するフェーズ2a臨床試験について、アルコール乱用/アルコール依存研究所（NIAAA）から承認及び資金援助を獲得したことを公表しました。当該臨床試験は、2014年初めに開始されました。さらに、当社は、2014年8月、筋萎縮性側索硬化症（ALS）を適応とするフェーズ2a臨床試験を開始いたしました。

当社は、2012年に、救急施設における喘息急性発作を適応としたMN-221のフェーズ2臨床試験を完了し、2012年10月に、米国食品医薬局（「FDA」）とのエンド・オブ・フェーズ2ミーティングを実施しました。当社は、当該ミーティング後にFDAから受けたフィードバックに沿ってMN-221プログラムを実施する予定です。当該ミーティングにおいて、FDAは、MN-221のリスク/ベネフィットのプロファイルを今後の開発の焦点とし、入院率の減少等の臨床結果を主治験の主要評価項目とすべきことを当社に助言しました。既に完了したフェーズ2試験は、喘息急性発作による入院の減少を目的としたMN-221の可能性を評価しました。当社は、MN-221の適切な臨床開発には、主治験の開始に先立ち、用法及び喘息急性発作の試験設計最適化試験が必要であると考えています。当社は、現在、さらなる臨床開発を開始する前に、資金援助のための提携先を特定することに取り組んでいます。当社は、2014年初めに、米国において、非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）を適応としたMN-001についての臨床試験の準備を開始しました。MN-001では、当社は、2014年6月、肺線維症の前臨床試験を完了し、肺線維症適応のフェーズ2臨床試験の準備を進めておりますが、2014年10月、MN-001は、肺線維症適応において、FDAからオーファンドラッグに指定されました。

当社は、4つの製品候補の開発のために、MN-166、MN-221、MN-001及びMN-029につき、ライセンスを取得いたしました。その中には、進行型多発性硬化症、様々な依存症、喘息急性発作、NASH及び固形癌などを適応とする臨床開発が含まれています。当社は、MN-166、MN-221、MN-001及びMN-029を開発するための当社の能力を最大限に高めるために、MN-246、MN-305、MN-447及びMN-462の4つの化合物のライセンスをそれぞれのライセンサーに返却しました。

### 当社の戦略

当社は、まだ十分に有効な治療法がない重篤な疾患に対する高付加価値な治療分野における差別化された製品の開発の成功によって、持続可能な生物製剤事業を構築することを目標としております。当社は、米国市場に重点を置いております。こうした目標に向けて、主に以下の課題に取り組むことを当社の戦略としております。

#### ・主に非希薄化の資金調達を手段とする、複数の潜在的適応疾患に関するMN-166の開発の推進

当社は、試験責任医師から資金援助を受けた試験及び政府の助成金又は民間・公共の助成金を通じて資金援助を受けた試験の双方により、多様なMN-166（イブジラスト）プログラムを前進させるつもりです。当社は、医薬品の供給並びに安

全上及び規制上の支援の提供に加えて、共同事業体から資金援助を受けた治験の一部に対し資金を提供する場合があります。例えば、当社は、進行型多発性硬化症治療薬のMN-166の多発性硬化症についての二次進行型及び一次進行型イブジラストニューロネクスト治験（SPRINT-MS）のフェーズ2臨床治験に対する財政的関与を高めました。

・後期段階の製品開発の完了及び当社の製品の商品化の成功に向けた大手製薬会社との戦略的提携

当社は、大手製薬会社と関係を築き、それを維持してきました。当社は、プルーフ・オブ・コンセプトフェーズ2臨床治験の完了後、さらなる臨床開発及び製品の商品化を進めるため、MN-166、MN-221、MN-001及びMN-029等の後期段階の製品候補を求めている大手製薬会社と戦略的提携関係を構築する予定であります。

## 当社の製品候補及びプログラム

当社の製品開発プログラムは、まだ十分に有効な治療法が確立されておらず、大きなビジネス・チャンスを秘めていると当社がみなす疾患に対処するものです。当社は、当社の製品候補が、現在の治療法に比べて大きな優越性をもたらし得る新規治療法を提供できると考えております。

当社の製品取得は、主に、ライセンサーが米国外において集積した前臨床試験及び初期臨床試験データを豊富に有する製品候補を中心としております。当社は、米国又はその他の国における薬事承認取得のための、新薬臨床試験開始申請（「IND」）又はその他の国における同等の申請の準備の際、また追加の前臨床試験又は臨床試験を計画、実施する際に、かかる既存データを利用します。

以下は、当社の製品開発プログラムの詳細です。

### MN-166（イブジラスト）

イブジラスト（MN-166）は、新規でファースト・イン・クラスの抗神経炎症性及び神経保護性薬剤です。イブジラストは、マクロファージ遊走阻止因子（MIF）及び特定のホスホジエステラーゼ（PDE）の阻害薬です。イブジラストは、日本と韓国において、喘息及び脳梗塞発作後の症状の治療薬として20年以上使用されていますが、当社は、米国とヨーロッパにおいて、慢性神経因性疼痛、薬物依存及び多発性硬化症（特に、一次進行型及び二次進行型多発性硬化症）及び筋萎縮性側索硬化症（ALS）の治療薬としてイブジラストの開発を行っています。当社は、2004年に、MN-166を杏林製薬株式会社（「キョーリン」）からライセンス導入しました。

当社は、神経系疾患治療のためのイブジラストの複合的利用についての特許、及び第2世代分子になると考えられるイブジラストの類似物についての特許の申請を行いました。一部の特許財産は、米国及び諸外国において承認を取得しております。

一次進行型及び二次進行型多発性硬化症：多発性硬化症は、原因がほぼ不明の複雑な疾病であり、米国多発性硬化症協会によると、全世界に約2.3百万人の多発性硬化症患者がいます。再発を伴わない一次進行型多発性硬化症（PPMS）又は二次進行型多発性硬化症（SPMS）に対する、一般に安全で有効であると考えられている治療法はありません。PPMS及びSPMSの患者に対する安全で効果的、かつ手軽に投与可能な治療法に対する大きな需要があります。イブジラスト（MN-166）には、このような需要を満たすことができる可能性があります。2008年に中央・東ヨーロッパで完了したフェーズ2a治験における有望な結果に基づき、米国国立衛生研究所から資金援助を受けるフェーズ2臨床治験ネットワークであるニューロネクスト共同プロジェクトの治験責任医師は、米国のPPMS及びSPMSの患者に対するイブジラストの評価を開始しました。SPRINT-MSは、2年間にわたりPPMS及びSPMSの患者におけるイブジラスト（最大で1日100mg）の安全性及び認容性を評価するプラセボ対照無作為フェーズ2治験です。米国の28カ所の医療施設における240人の患者の募集及び登録が2013年後半に開始されました。2015年第1四半期に患者登録が完了する見込みです。

ALS（Amyotrophic Lateral Sclerosis :ALS）（筋萎縮性側索硬化症）：またの名をルー・ゲーリック病（著名な大リーグ野球選手が罹患したことから）と呼ばれるこの疾病は、脳及び脊椎の神経細胞にダメージを及ぼす進行性の神経変性疾患です。このダメージにより特定の筋肉への指令が届かなくなり、筋肉が萎縮し弱まっていきます。その結果、随意運動が不自由となり、病状末期には全身の運動麻痺に至り人工呼吸器などの補助が必要になります。診断されてからの生存期間は通常2-5年と言われています。米国ALS協会によると、現在米国には約30,000人のALS患者がおり、さらに毎年約5,600人が新たに診断されているとのことです。

当社は、筋萎縮性側索硬化症治療を適応とするMN-166のフェーズ2a臨床治験を2014年8月に開始いたしました。主任責任医師はノースカロライナ州シャーロットにあるカロライナ・ヘルスケアシステムの神経科学研究所、神経筋/ALS・MDAセンター所長のベンジャミン・リックス・ブルックス博士が務めます。本治験は、6ヶ月間のプラセボ対照、無作為二重盲検に続き、オープンレベル（非盲検）の6ヶ月の合計12ヶ月の治験です。治験に参加するALS患者はMN-166（60mg/日）またはプラセボをリルゾールと併用しながら服用し、MN-166の安全性、認容性及び治療効果を判定します。被験者は治験参加時点で、孤発性または家族性ALSの診断から3年以内であること、少なくとも1ヶ月間以上リルゾールを定量服薬（100mg/日）していることが条件です。18歳から80歳までの男女約60名（MN-166群 40名：プラセボ群 20名）の患者登録を予定しています。治療効果の評価には改訂版ALS

機能評価スケール（ALS患者の包括的な重症度指標）、呼吸機能、筋力、非侵襲的換気（呼吸補助機器 NIV）の使用の有無などの評価項目を含みます。当社は2014年10月、CDCが、本臨床治験をサポートする決定を行ったことを発表いたしました。

**メタンフェタミン依存症：**メタンフェタミンは、アンフェタミンと同様の構造を有する、中枢神経系刺激薬です。メタンフェタミンは、中毒性が高く、治療効果が低い、スケジュール の薬剤です。米国薬物乱用・精神衛生管理庁の薬物使用に関する2012年の全国調査によると、米国のメタンフェタミン使用者は約440,000人（12歳以上）に上っています。ランド・コーポレーションによると、データを入手可能な最近の米国におけるメタンフェタミン使用による経済的負担は約234億米ドルと推定されています。現在のところ、メタンフェタミン依存症の治療薬はありません。メタンフェタミンの再発に関する動物モデルにおけるイブジラストの効果についての非臨床結果に基づき、UCLAの治験責任医師は、イブジラストの安全性及び予備的効果を調査するため、入院患者治験における非治療目的のメタンフェタミン依存症患者を対象とした、NIDAから資金援助を受けたフェーズ1b治験を実施しました。同治験は2012年に完了しました。その後、UCLAの治験責任医師は、メタンフェタミン依存症の外来患者を対象とした、イブジラスト評価のためのフェーズ2治験（2013年に開始されました。）について、NIDAから資金援助を獲得しました。

当社は、2013年2月に、メタンフェタミン依存症を適応としたイブジラストについて、FDAからファストトラック指定承認を受けました。ファストトラック指定とは、深刻な疾患に対する治療薬の開発を促進し、承認審査を早めるための制度であり、満たされていない医療ニーズを満たす可能性があります。FDAのファストトラック・プログラムの重要な要素は、製品開発の効率性を高めるため、開発及び承認審査の全過程においてFDAと製薬企業との間で迅速かつ頻繁なやり取りが行われることです。従って、ファストトラックの指定を受けると、最終的な医薬品の承認のために要する時間を短縮できる可能性があります。

**オピオイド離脱：**米国薬物乱用・精神衛生管理庁の薬物使用及び健康に関する2012年の全国調査によると、米国で医療外目的の鎮痛剤の依存症又は乱用を患う患者は約2.0百万人（12歳以上）おり、そのうちヘロイン依存又は乱用患者は約467,000人（12歳以上）に上っています。オピオイド処方薬に対するアクセスは、オピオイドの処方に関する政策がより厳しくなったことを受けて、近年より困難になりました。かかる政策により、ヘロイン使用の増加という意図せぬ結果がもたらされました。ヘロインは、より安価で入手しやすいという2つの主な理由によってオピオイド処方薬より魅力的です。ヘロインは、HIV及びC型肝炎感染、過剰摂取並びに死亡のリスクといった深刻な健康問題をもたらします（クノップ、2012年）。2006年の米国における医療以外の目的のオピオイド処方薬使用の経済的損失（ハンセン他、2011年）は、年間500億米ドル超と推定されています。生産性の低下及び犯罪が経済的損失の94%を占めています。オピオイド処方薬及びヘロイン依存症治療のための安全で効果的で非中毒性、かつ非オピオイドの治療薬に対する緊急の医学的需要は未だ満たされていません。2010年、コロンビア大学及びNYSPIの治験責任医師は、ヒトにおけるオピオイド離脱症状の緩和に関するイブジラストの効果を評価するためのプラセボ対照無作為二重盲検のフェーズ1b/2a臨床治験を完了しました。同臨床治験は、NIDAから資金援助を受けています。その後、コロンビア大学及びNYSPIの治験責任医師は、オピオイド処方薬を適応としたイブジラストのフェーズ2臨床治験を開始しました。当社は、2014年8月、当該臨床治験の良好な中間解析結果を発表いたしました。また、この結果に基づき、NIDAから、本臨床治験の継続をサポートする追加の助成金266万米ドルの供与を受けました。

**慢性薬剤誘発性頭痛：**アデレード大学の治験責任医師は、慢性薬剤誘発性頭痛と診断された患者の頭痛の頻度、重度及び持続時間を低下させるイブジラストの効果を評価するため、プラセボ対照無作為二重盲検のパイロット治験を開始しました。同治験において、患者は、8週間にわたり、1日80mgのイブジラストの投与を受けました。同治験は2011年に開始され、2013年半ばに完了する予定でした。しかしながら、治験責任医師は、当初設定された登録目標より少ない募集人数で同治験を終了させることを決定しました。当社は同治験の治験結果報告書をまだ受領しておらず、結果の公表（もしあれば）を通じて以外に研究結果を入手することはできないと考えています。

**アルコール依存症：**米国薬物乱用・精神衛生管理庁の薬物使用及び健康に関する2012年の全国調査によると、米国でアルコール依存症又は乱用患者は約17.7百万人（12歳以上）に上っています。米国疾病対策予防センターの報告によると、2006年（完全なデータが入手可能な最新年度）の米国におけるアルコールの過剰摂取による経済的負担は、年間2,240億米ドルとされています。現在、FDAの承認を得たアルコール依存症治療薬には、Antabuse®、Vivitrol®及びCampral®等が含まれます。しかしながら、これらのFDAの承認を得た化合物の効果は限定的であり、安全で有効な治療薬が依然として求められています（Witkiewitz他、2012年）。非臨床治験において（ベル他、2013年）、ラット及びマウスにおけるイブジラストの効果が調査され、アルコール選択性のPラット及び多量のアルコール摂取のラットにおけるアルコール摂取が50%減少し、アルコール依存のマウスについては、非依存のマウスでは効果がなかった用量においてアルコール摂取が減少することが発見されました。同時に、UCLAの治験責任医師は、イブジラストの安全性、認容性及び当初のヒトに対する有効性を判断するため、治療下でないアルコール乱用又は依存症患者24人を対象として、プラセボ対照無作為二重盲検被験者内クロスオーバー計画のフェーズ2a臨床治験を開始するためにNIAAAから資金援助を受けました。被験者にはイブジラスト及びプラセボが投与されます。同治験は2014年初めに開始されました。

## MN-221（ベドラドリン）

MN-221は、喘息急性発作治療薬として現在開発中の、新規の高度選択的な $\beta_2$ アドレナリン作動性受容体作動薬です。当社は、2004年2月に、キッセイ薬品工業株式会社（「キッセイ薬品」）からMN-221に関するライセンスを取得いたしました。現在の喘息急性発作治療薬の吸入作動薬は、炎症及び気道の狭窄による気道収縮又は不十分なエアフローにより、薬剤が肺へ十分に届かないために、効果が限られています。加えて、心臓血管を刺激する副作用（心拍の増加等）の恐れがあるため、患者が耐えうる吸入薬の量は限られています。

MN-221は、静注による投与方法をとっていますが、これは発作によって狭められた気道を経由しないため、薬剤を肺に直接届けることができます。前臨床試験では、MN-221は、肺の $\beta_2$ アドレナリン・レセプターにより親和性があり、心臓組織の $\beta_1$ アドレナリン・レセプターとは、はるかに親和性が低いことが確認されました。MN-221の肺への薬剤供給の改善及び心臓に対する副作用の軽減は、喘息急性発作患者の呼吸を容易にし、患者が高額な入院を免れる手助けをすることによって、満たされていない需要を満たすことができるかもしれません。

**喘息急性発作：**米国国立健康統計センターの最新のデータによると、米国において、2010年には、喘息による救急診療科への外来者数は1.75百万人、入院患者数は439,000人であり、死者数は3,404人でした。米国国立心肺血液研究所によると、2010年には、米国で喘息による入院治療のために費やされた直接医療費は55億米ドルと推測されています。入院患者の約10%が集中治療室（ICU）への入院が必要な生命に関わる喘息を患っています。

当社は、救急施設における喘息急性発作患者を対象に、MN-221を評価することを目的とした無作為プラセボ対照二重盲検フェーズ2b臨床試験を完了いたしました。MN-221は、主要評価項目であるプラセボに対するFEV<sub>1</sub>（1秒間努力呼気肺活量）の改善において、統計的有意性を達成できませんでした。しかしながら、MN-221は、FEV<sub>1</sub>（リットル）での濃度曲線下面積（投与開始～1時間後、2時間後、3時間後）において、プラセボに対し著しい改善を示しました（それぞれ、 $p=0.043$ 、 $p=0.050$ 、 $p=0.066$ ）。同試験においては、標準治療に加えてMN-221の投与を受けた場合に入院率の改善も見られました。MN-221の投与を受けた患者の臨床症状にも著しい改善が見られました。また、MN-221の認容性は良好で、臨床的に重大な安全性／認容性の問題は認められませんでした。

当社は、2012年10月に、当該製品候補の将来の開発を検討するためFDAとエンド・オブ・フェーズ2ミーティングを行いました。FDAは、MN-221のリスク／ベネフィットのプロファイルを今後の開発の焦点とし、入院率の減少等の臨床結果を主治験の主要評価項目とすべきことを当社に助言しました。当社は、FDAから受けたフィードバックに基づきMN-221の今後の開発を設計すること、及び喘息に関するMN-221の今後の臨床試験開発を、資金調達の観点から提携先と協働して行うことを決定しました。

## MN-001 (ティベルカスト)

MN-001は、新規の経口投与可能な低分子化合物であり、前臨床モデルにおいて抗炎症作用を示しています。5-L0経路の阻害により抗炎症作用の働きがあり、それによって関節炎、変形性関節炎、アレルギー及び喘息等の様々な炎症性疾患に影響を及ぼすとされています(マルチネス・クレメンテ他、2011年)。近年、5-L0は、肝障害の病原因子であるとされています(ティトス他、2010年)。MN-001は、脂肪肝の新たな対象であると考えられる5-L0及び5-L0/LT経路に対し阻害作用を有すると考えられています。当社は、2002年に、MN-001をキョーリンからライセンス導入しました。

当社は、以前には、喘息に対する臨床的有効性についてMN-001の評価を行い、喘息に関するフェーズ2治験を完了し、良好な結果を得ていました。MN-001は、600人以上の被験者に投与され、おおむね安全で良好な認容性を示していると考えられています。

NASH(非アルコール性脂肪性肝炎)：当社は、NASH治療薬としての臨床的有効性を評価するためMN-001の前臨床試験を完了しました。NASHのSTAM™(NASH-HCC)のマウスモデルにMN-001を1日1回経口投与し(3週間にわたり10、30、100mg/kg)、肝臓生化学及び肝臓病理組織、NAFLDの活動スコア(NAS)ならびに線維化の割合及び遺伝子発現によって、その効果を評価しました。MN-001は、肝臓のヒドロキシプロリン量の減少に見られるとおり、プラセボと比較して用量依存的に線維化領域を大幅に減少させました( $p < 0.01$ )。これは、MN-001の線維化の予防の可能性を支持するものです。MN-001は、NASを大幅に改善させました( $p < 0.01$ )。MN-001は、当該動物モデルにおいて、肝細胞障害( $p < 0.01$ )及びballooning(肝実質細胞の死)( $p < 0.01$ )を阻害し、NASHの病状を改善させました。MN-001は、同時に、肝臓における一定の遺伝子発現を減少させることが確認され、MN-001がNASHモデルにおいて線維化の形成を予防することが示されました。総じて、これらの結果により、ヒトのNASHの治療にはMN-001のさらなる治験・評価が必要であるという有力な証拠が提示されました。当社は、NASHの治療薬に関する臨床治験を米国で開始するための準備を進めています。

当社はまた、2014年8月、MN-001のマウスの進行型NASH(線維化を伴った非アルコール性脂肪性肝炎)モデルを対象とした前臨床試験の良好な結果を発表いたしました。

本試験では、ヒトNASHに類似した病態進行(脂肪肝からNASH(脂肪肝炎および線維化)、結節性病変、肝癌へと進行)を短期間で発症することを特徴としたマウスモデルを用い、線維化を伴う進行型NASHに病態進行させたマウスを対象として、3種類の異なる薬用量(一日1回、10、30、100mg/kg)のMN-001を4週間投与し、その効果を評価いたしました。MN-001の進行型NASHに対する効果については、マウス肝臓組織病理検査により、NAFLD(活動性)スコア(NAFLD Activity Score, NAS)や肝臓組織の線維化の程度を組織標本の染色により検討しました。

MN-001治療群のマウスのNAFLDスコア(NAS)はコントロール群に比較して顕著に改善しており、その改善は統計学的に有意( $p < 0.001$ )でした。また、NASを構成している3つのファクター(脂肪化、炎症巣、肝細胞の風船様腫大)についての個別検討では、すべてのファクターにおいて統計学的に有意な改善が認められました。肝臓細胞の風船様腫大(バルーンニング)の改善は $p < 0.001$ 、肝葉炎症巣の改善は $p < 0.01$ 、脂肪化の改善は $p < 0.05$ という結果でした。また、MN-001治療群において、肝臓の線維化が減少していることが認められました( $p < 0.01$ )。さらに、線維化のマーカーである $\alpha$ -SMAを染色し検討した結果、MN-001治療群において $\alpha$ -SMAが著しく減少していることが判明しました( $p < 0.001$ )。

これらの結果により、MN-001はNASHに対して炎症抑制、脂肪化抑制効果があるだけでなく、線維化を改善する効果を示していると考えられます。

本結果及びもう一本のNASHの前臨床試験の結果をふまえて、臨床治験のプロトコールの詳細について、当社はFDAと協議する予定です。

肺線維症：肺の高度な線維化を主体とし、拘束性換気障害(肺が伸縮性を失い固くなることで十分に換気出来ない状態)をきたす肺疾患です。肺の線維化は抗がん剤の副作用、アスベストへの暴露など様々な原因で起こり得ますが、中でも原因不明の特発性肺線維症は非常に予後不良な難病で平均寿命は診断から3-5年とされています。米国での罹患者は12.8万人と言われます。

当社は、MN-001のマウス プレオマイシン誘発性肺線維症モデル(Pulmonary Fibrosis, PF)を対象とした前臨床試験を完了し、2014年6月に良好な結果を発表いたしました。

本試験は、プレオマイシンによって誘発された肺線維症モデルマウスに、3種類の異なる薬用量(一日1回30、100、300mg/kg)のMN-001を2週間投与し、その効果を評価しました。MN-001の肺線維症に対する効果については、線維化を肺組織染色検査によって判定するAshcroftスコア、CTスキャンによる肺密度評価、さらに線維化・コラーゲン蓄積の指標となるハイドロキシプロリン量の測定により評価を行いました。

当社は2014年1月14日、既にMN-001がNASHマウスモデルにおいて肝臓の線維化に対して効果があることを報告しておりますが、今回の試験結果は、MN-001が肝臓の線維化のみならず、肺の線維化に対しても効果を示したことから、MN-001は線維症全般に効果があることを示すものと考えております。

MN-001については、既にFDA(呼吸器、アレルギー、リウマチ 製品部門)に治験許可申請(IND)が提出されているため、当社は当局と相談し、速やかに肺線維症を適応とするフェーズ2臨床治験に入る準備を進める予定です。また、2014年10月には、FDAがMN-001を肺線維症治療薬としてオーファンドラッグに指定しました。

## MN-029 (デニブリン HCL)

MN-029は、固形癌治療のために開発中の新規のチューブリン結合物質です。MN-029は、チューブリン重合の阻害を逆転することによって細胞骨格の分裂を引き起こし、その結果、癌細胞を変形させ、最終的に固形癌の広範な中心壊死を生じさせます。当社は、2002年に、アンジオジーン・ファーマシューティカルズ社（「アンジオジーン」）からMN-029のライセンスを取得しました。

複数の前臨床薬理において、乳癌、大腸癌、肺癌及びKHT肉腫のネズミの実験モデルの生体内におけるMN-029の作用機序及び抗癌作用が評価されました。これらの試験において、MN-029は、腫瘍細胞への直接的作用に加えて、十分に形成されていない腫瘍血管の血管壁を損傷することによって漏出や凝固を起こし、結果的に腫瘍内の血流を阻害しました。これらの試験は、MN-029の作用が速やかであり、短時間で体内から排出されることを示唆しており、これによって、化学療法に共通してみられる副作用が軽減される可能性があります。腫瘍内の血流の遮断は、ダイナミック造影MRIの使用によって確認されました。2件のフェーズ1臨床試験では、腫瘍の血流を阻害するレベルの用量においても、MN-029の認容性は良好でした。

最初のフェーズ1試験は、難治性癌患者34人を対象に3週間おきにMN-029を単回投与し、MN-029の安全性、認容性及び最大耐量を調査しました。最大耐量は $180\text{mg}/\text{m}^2$ とされ、25サイクルの間の3週間おきの単回静注投与は安全であるように見受けられました。日常的な実験的評価、バイタルサイン又はECG監視において臨床的に重大な変化は見られませんでした。最も多く報告された有害事象は、他の化学療法と同様、嘔吐、吐き気、下痢及び疲労感でした。合計で9件の重篤な有害事象が報告され、有害事象を理由に当該患者の試験は中止されました。抗癌作用の予備的評価では、完全寛解又は部分寛解に達した患者はいませんでした。しかしながら、12人の患者の症状は安定していました。MN-029は、 $120\text{mg}/\text{m}^2$ の用量を投与された11人の患者のうち7人の患者について望ましい血管作用を示しました。9人の患者は、引き続き治療の延長サイクルを受けました。

2番目のフェーズ1試験は、進行性/転移性の固形癌患者を対象に7日おきに合計3回のMN-029の単回投与を行い（1日目、8日目及び15日目）、その後13日間の回復期間を設け（16日目から28日目）、MN-029の安全性、認容性及び最大耐量を調査しました。MN-029による治療に認容性を示した患者は、追加サイクルを受けました。20人の被験者全員が、試験薬に関する有害事象を少なくとも1回報告しました。試験薬に起因すると考えられる有害事象のうち最も一般的なものは、嘔吐、吐き気、関節痛及び頭痛でした。日常的な実験的評価、バイタルサイン又はECG監視において臨床的に重大な変化は見られませんでした。試験薬に無関係だと考えられる重篤な有害事象が1件報告されました。前回のフェーズ1試験と一貫して、最大で $180\text{mg}/\text{m}^2$ のレベルの用量が安全であり、認容性が良好であるように見受けられました。1人の患者が部分寛解に達し、74日間継続しました。7人の患者の症状は安定していました。同試験の結果は、MN-029が血流に作用することを示しましたが、被験者数をより多くすることが必要です。

当社は、2013年10月に、MN-029二塩酸塩に関する出願中の特許申請に対し、米国特許商標庁から承認の通知を受領したことを公表しました。承認を受けた特許は、発行されると、2032年7月以降に失効することになっています。承認された特許は、デニブリン二塩酸塩に基づく化合物、医薬組成物及び特定の細胞増殖性疾患（固形癌を含みます。）の治療法を対象としています。当社は、固形癌治療薬としてのMN-029のさらなる開発を進める予定であります。



製品候補及びプログラム - イブジラスト (MN-166)

適応症	臨床治験	主要な治験責任医師 / 機関 / 資金提供機関	状況
多発性硬化症 一次進行型及び二次進行型多発性硬化症患者を対象に 多発性硬化症	イブジラスト (MN-166) の安全クリーブランド・クリニック性、認容性及び作用を評価するた国立神経疾患脳卒中研究所 のためのプラセボ対照無作為二重盲検メディシノバ 治験	Robert J. Fox, M.D., M.S., FAAN	進行中
ALS	ALS患者を対象にイブジラストの安 全性、認容性及び効果を評価するカロライナ、ヘルスケアシステム プラセボ対照無作為二重盲検治験	Benjamin Rix Brooks, M.D. メディシノバ	進行中
依存症 メタンフェタミン依存症	メタンフェタミン依存症に関する イブジラストの無作為治験	Keith Heinzerling, M.D., MPH UCLA 米国国立薬物乱用研究所	進行中
オピオイド依存症	オピオイド乱用者のオキシコドン 自己投与に対するグリア活性化のコロンビア大学 / NYSPI 阻害剤であるイブジラスト (MN-米国国立薬物乱用研究所 166) の効果	Sandra D. Comer, Ph.D. メディシノバ	進行中 (中間解析済)
アルコール依存症	アルコール依存症の新規治療薬と してのイブジラスト (MN-166) の 開発	Lara Ray, Ph.D. UCLA アルコール乱用 / アルコール依存症研 究所	進行中
疼痛 慢性薬剤誘発性頭痛	薬剤誘発性頭痛の治療薬としての イブジラスト : プラセボ対照無作 為二重盲検パイロット治験	アデレード大学薬理学部 メディシノバ	結果解析待ち

**営業及びマーケティング業務**

現在、当社はマーケティング能力及び販売能力を有しておりません。当社は、後期段階の製品開発を完了させ、当社の製品を商品化するにあたっては、戦略的提携先に頼ることを見込んでおります。

**製造**

当社は、研究、開発、前臨床試験及び臨床治験に用いる大半の医薬品有効成分 (「API」) 及び治験用製品の完成品の製造を外部委託しております。当社は、当社の臨床治験あるいは将来的な販売のために、API及び完成品の製造を、今後も外部製造業者に委託することが必要であると見込んでおります。当社は、当社の臨床治験の要件あるいは将来的な販売の要件に見合い、かつ商業上妥当な条件で、当社の製品のAPI及び完成医薬品の製造を委託できる製造業者が複数存在すると考えております。

当社は、MN-166 (イブジラスト) 開発プログラムに関して、日本でPinatos<sup>®</sup>として販売されている遅放出性のイブジラストのカプセルを大正薬品工業株式会社から調達し、輸入しました。

MN-221に関するキッセイ薬品とのライセンス契約に基づき、キッセイ薬品は、MN-221のAPIの販売用供給を製造する独占的権利を有しております。当社がキッセイ薬品と供給契約を締結した場合、当社は、当該製品候補についてFDAその他規制当局の販売承認が得られることを条件に、MN-221の供給に必要なすべてのAPIをキッセイ薬品から購入する予定です。

**知的財産権及びライセンス契約**

2000年9月の創業以来、当社は、現在有する製品候補につき、8つのライセンス契約を製薬会社と締結しております。当社はまた、製品候補に関する追加の知的財産につき、コロラド大学やアデレード大学等の大学とライセンス契約を締結しております。通常、当社は、販売が見込まれる製品については特許を取得して保護するか、又はライセンサーが有する関連特許により同様の保護を得るようにしております。当社は現在までに、米国における5件の交付済み特許に基づき、ライセンス権利を受けております。また米国外において、上記の米国特許及び特許申請に相当する、54件の交付済み又は出願中の特許若しくは特許申請についてのライセンス権利を受けております。これらのライセンス権利に加えて、当社は米国で、17件の交付済み特許を有しており、14件の特許申請を新たに提出しました。また米国外において、上記の米国特許及び特許申請に相当する、71件の交付済み又は出願中の特許若しくは特許申請を有しております。当社は、当社が保有し又はライセンスを許諾した特許に対する、第三者のいかなる侵害も認識しておりません。当社はまた、第三者から、その知的財産権を当社が侵害したとする重大な請求を受けておりません。以下は、当社の各製品候補に関して当社が有する既存のライセンス契約及び知的財産権の詳細です。

#### MN-166

当社は、2004年10月22日、MN-166の開発及び商品化に関して、キョーリンと独占的ライセンス契約を締結いたしました。キョーリンは、日本の総合医薬品企業で、東証一部上場会社です。当社は、多発性硬化症治療薬MN-166に関する特許権及びノウハウにつき独占的かつ全世界（日本、中国、韓国及び台湾を除きます。）で再許諾可能なライセンス（点眼薬の製剤を除きます。）を取得いたしました。MN-166について、組成物に関する特許は取得されておられません。かかるライセンスの基盤となる多発性硬化症治療薬のMN-166の米国における使用方法の特許は、2018年8月10日に失効することになっています。一部のその他の国でも、これに相当する用法特許が2018年8月10日に失効することになっています。契約の条件に従い、当社は、MN-166化合物を使用した眼科製剤を世界中のあらゆる場所において、また、MN-166化合物を使用した眼科に無関係の製剤を当社の販売区域外において開発するために、当社の前臨床、臨床及び規制データベースを使用するための無償の独占的かつ再許諾可能なライセンスをキョーリンに付与いたしました。

同ライセンス契約は、一方の当事者が本契約に対し重大な違反を行い、当該違反が治癒されない場合には、他方当事者が解除することができます。また、当社はキョーリンに対する90日前までの書面による通知をもっていかなる理由によっても同契約を解除することができ、第三者がMN-166がかかる第三者の知的所有権を侵害する旨を主張した場合には、30日前までの書面による通知をもって同契約を解除することができます。

同契約の期間は、各国ごとの基準により決定され、同契約上の支払義務が満了する日、又は、同契約により付与されるライセンスがなければ、薬品の製造、使用又は販売が、キョーリンが有する有効な特許クレームの侵害に該当することになる期間の最終日、若しくは適用ある市場独占期間の最終日まで延長されます。特定の国において、有効な特許クレーム及びジェネリック製品との競争が存在しない場合、同契約は、当社が最初に製品の販売を行った日から数えて5年後、又は、かかる国においてジェネリック製品との競争が生じてから第2四半期末のいずれか早い日に終了します。

同ライセンス契約に基づき、当社は、現在までにキョーリンに対し、0.7百万米ドルを支払っております。また、臨床治験及び薬事規制において一定の段階に到達した場合には最大で5百万米ドルを支払う義務があります。当社はまた、ライセンス製品の純売上高に対するライセンス使用料を支払う義務があります。

当社は、MN-166（イブジラスト）及びその類似物について、7件の交付済み米国特許及び7件の出願中の米国特許申請、並びにそれに相当する外国における出願中の特許申請についてのライセンスを保有し又は共同保有しております。これらの特許及び特許申請は主に、低分子製品についての当社の開発ポートフォリオに関連するものであり、現在は、イブジラスト及びその類似物を使用した様々な適応疾患に対する治療法を対象としています。

当社は、進行型多発性硬化症治療薬としてのMN-166（イブジラスト）の使用に関する米国特許を取得いたしました。2012年3月に付与された当該特許は、2029年11月以降に失効することになっています（特許期間の回復に関する規則に基づき認められる可能性のある延長を含みません。）。当該特許は、単独で又は他の薬剤と併用してイブジラストを投与することによる、PPMS又はSPMSの治療法に対するものです。かかる特許申請に相当する申請がいくつかの国において承認されております。当社は、神経因性疼痛治療薬としてのMN-166（イブジラスト）の使用に関する米国特許を取得いたしました。当該特許は、2025年12月以降に失効することになっています。かかる特許申請に相当する申請がいくつかの国において承認されております。当社は、薬物依存又は薬物離脱症候群治療薬としてのMN-166（イブジラスト）の使用に関する米国特許を取得いたしました。当該特許は、2030年1月以降に失効することになっています。当該特許申請に相当する特許が米国外のいくつかの国々において承認されております。当社は、急性疼痛におけるオピオイド鎮痛のためのMN-166（イブジラスト）の使用に関する特許について欧州特許庁から承認を取得いたしました。当該特許は、2028年1月以降に失効することになっています。

#### MN-221

当社は、2004年2月25日、MN-221の開発及び商品化に関してキッセイ薬品と独占的ライセンス契約を締結いたしました。キッセイ薬品は、日本の総合医薬品企業で、東証一部上場会社です。当社は、当該特許権において開示され、含まれ又は対象となるMN-221及びその他の化合物に関する様々な特許権及びノウハウにつき、すべての適応疾患のための、全世界の（日本を除きます。）独占的かつ再許諾可能なライセンスを取得いたしました。同ライセンスは、1件の米国特許並びにこれに相当する外国における特定の特許及び特許申請に基づく、独占的なライセンスを含んでおります。同ライセンスは、キッセイ薬品から書面による同意を取得することにより再許諾可能です。MN-221に対する米国特許は、組成物質及び用途についての権利により構成されます。かかるライセンスの基盤となる米国における組成物特許は、2000年10月17日に交付され、2017年2月18日以降に失効することになっております（特許期間の回復に関する規則に基づき認められる可能性のある延長を含みません。）。他の各国でも、これに相当する組成物特許が2017年2月18日以降に失効することになっております。

許諾済特許に加えて、当社は、MN-221の追加的使用及び製剤に関する特許申請を米国及び米国外において提出しております。当社は、喘息急性発作治療薬としてのMN-221の使用に関する米国特許について、承認を取得いたしました。当該特許は、2030年11月以降に失効することになっております。当該特許は、MN-221（ベドラドリン）を標準療法と併用して使用する権利を含んでおり、経静脈、経口及び吸入等の異なる投与方法についての適用を含んでいます。当社は、かかる特許申請に相当する申請を特定の外国において提出しております。当社は、過敏性腸症候群治療薬としてのMN-221の使用に関する米国特許について、承認を受けました。当該特許は、2031年4月以降に失効することになっております。

同ライセンス契約は、一方の当事者が本契約に対し重大な違反を行い、当該違反が治癒されない場合には、他方当事者が解除することができます。また、当社は、科学的又は商業的理由がある場合には、開発段階においては100日前までの書面による通知を、商品化段階においては180日前までの書面による通知をキッセイ薬品に送付することによって、同契約を解除することができます。

同契約の期間は、各国ごとの基準により決定され、ライセンス上のキッセイ薬品の特許権のうち、最後の特許権（又はそれと同等のもの）が失効する日まで、又は、有効な特許クレームが存在しない場合若しくは有効な特許クレームが最初の製品の販売日から10年より後に失効する場合には、最初の製品の販売日後10年後まで、延長されます。かかる契約期間は、上記のいずれの場合にも、いずれの国においてもジェネリック製品との競争が始まる日を超えて延長されるものではありません。

同ライセンス契約に基づき、当社は、現在までにキッセイ薬品に対し、1百万米ドルを支払っております。また、臨床治験及び薬事規制において一定の段階に到達した場合には最大で170万米ドルを支払う義務があります。当社はまた、ライセンス製品の純売上高に対するライセンス使用料を支払う義務があります。2011年9月にキッセイ薬品との間で締結された契約の条件に従い、当社は、目標達成支払金及びライセンス使用料の現在の水準について、キッセイ薬品と誠実に再交渉することに合意いたしました。

## MN-001

2002年3月14日、当社は、MN-001の開発及び商品化に関して、キョーリンと独占的ライセンス契約を締結いたしました。当社は、当該特許権において開示され、含まれ又は対象となるMN-001及びその活性代謝産物であるMN-002に関する特許権及びノウハウにつき、すべての適応疾患（点眼薬の製剤を除きます。）のための、独占的かつ全世界（日本、中国、韓国、及び台湾を除きます。）で再許諾可能なライセンスを取得いたしました。同ライセンスは、2件の米国特許並びにそれに相当する米国外における特定の特許に基づく独占的かつ再許諾可能なライセンスを含んでおります。ライセンスの基盤となるMN-001及びMN-002の米国における組成物特許は、それぞれ2009年2月23日及び2011年12月30日に失効いたしました。MN-001及びMN-002の外国における組成物特許もまた失効いたしました。当社は、MN-001及びMN-002に付随する特定の組成物、用途及び製造過程を対象とする8件の米国特許について、承認を取得いたしました。これらの米国特許に相当する特許申請は、特定の米国外の国において提出されており、複数の外国特許が交付されております。当社は、当社自らの特許申請により交付される特許に加え、承認後の独占権の適用期間に依存する予定です。

契約の条件に従い、当社は、MN-001を使用した眼科製品を世界中のあらゆる場所において、また、MN-001を使用した眼科に無関係の製品を当社の販売区域外において開発するために、当社の前臨床、臨床及び規制データベースを使用するための無償の独占的かつ再許諾可能なライセンスをキョーリンに付与いたしました。同ライセンス契約は、一方の当事者が本契約に対し重大な違反を行い、当該違反が治癒されない場合には、他方当事者が解除することができます。また、当社は、いかなる理由の場合でも、キョーリンに対する90日前までの書面による通知をもって同契約を解除することができ、第三者がライセンスされた特許若しくはノウハウがかかる第三者の知的所有権を侵害する旨を主張した場合には、30日前までの書面による通知をもって同契約を解除することができます。

同契約の期間は、各国ごとの基準により決定され、同契約上の支払義務が満了する日、又は同契約により付与されるライセンスがなければ、製品の製造、使用又は販売が、キョーリンが有する有効な特許クレームの侵害に該当することになる期間の最終日、若しくは適用ある市場独占期間の最終日まで延長されることとなります。特定の国において、有効な特許クレーム及びジェネリック製品との競争が存在しない場合、同契約は、当社が最初に製品の販売を行った日から数えて5年後、又はかかる国においてジェネリック製品との競争が生じてから第2四半期末のいずれか早い日に終了します。

同ライセンス契約に基づき、当社は、現在までにキョーリンに対し、4百万米ドルを支払っております。また、臨床治験及び薬事規制において一定の段階に到達した場合には最大で5百万米ドルを支払う義務があります。当社はまた、ライセンス製品の純売上高に対するライセンス使用料を支払う義務があります。

## MN-029

当社は、2002年6月19日、ANG-600シリーズ化合物の開発及び商品化に関してアンジオジーンと独占的ライセンス契約を締結いたしました。アンジオジーンは、英国における株式未公開の創薬企業です。当社は、当該特許権において開示され、含まれ又は対象となるANG-600シリーズ化合物に関する特許権及びノウハウにつき、すべての適応疾患のための、全世界の独占的かつ再許諾可能なライセンスを取得いたしました。MN-029は、かかるライセンスにより保護されるANG-600シリーズ化合物の一つです。同ライセンスは、3件の米国特許並びにそれらに相当する外国における特定の特許及び特許申請に基づく独占的な再許諾可能なライセンスを含んでおります。2003年11月11日に交付されたMN-029の米国における組成物特許は、2020年1月14日に失効いたします。また、特定の米国外の国において、この米国特許に相当する特許申請が提出され、そのうちのいくつかの特許が付与されました。2006年7月25日に交付されたMN-029の投与による固形癌腫瘍の治療方法を対象とする米国特許は、2020年7月に失効いたします。許諾された特許に加えて、当社は、MN-029（デニプリン）二塩酸塩に関する米国特許を付与されました。当該特許は、2032年7月以降に失効することになっています。承認された特許は、デニプリン二塩酸塩に基づく化合物、組成物及び特定の細胞増殖性疾患（固形癌を含みます。）の治療法を対象としています。

同ライセンス契約は、一方の当事者が本契約に対し重大な違反を行い、当該違反が治癒されない場合には、他方当事者が解除することができます。また、当社は、アンジオジーンに対する30日前の書面による通知をもって、いつでも同契約を解除することができます。

同契約の期間は、各国ごとの基準により決定され、ライセンスの対象であるアンジオジーンが有する特許権（又はそれと同等のもの）のうち有効な特許クレームを有する最後の特許権（又はそれと同等のもの）が失効する日又は最初の製品の販売日から15年後のいずれか早い日まで延長されます。

同ライセンス契約に基づき、当社は、現在までにアンジオジーンに対し、1.4百万米ドルを支払っております。また、臨床治験及び薬事規制において一定の段階に到達した場合には最大で16.5百万米ドルを支払う義務があります。当社はまた、ライセンス製品の純売上高に対するライセンス使用料を支払う義務があります。

## 一般事項

当社が企図する商業活動は、競合会社、大学及び/又はその他に対して既に付与されているか又は付与される可能性のある特許に抵触するおそれがあります。また、第三者が特許侵害を主張して当社、当社のライセンサー又はサブライセンサーに対して法的措置を行い、損害賠償を請求したり、又は影響を被った製品の製造及び販売、若しくは当該製品の使用若しくは製法の利用を禁じたりする可能性があります。このような行為が認められた場合、当社は、補償、損害賠償及び場合により弁護士報酬の支払の責任を負う可能性に加えて、影響を被った製品の製造、使用又は販売を継続するためには、ライセンスの取得が必要となる可能性があり、かかるライセンスは商業上妥当な条件では取得できないか、又はまったく取得できないおそれもあります。また、場合により、営業秘密又は秘密保持に係る合意に依拠する方が特許よりも当社にとって好都合なことがあり、その場合、当社は、特許を受けていない専有技術も利用いたします。しかし、他の者が実質的に同一の専有情報及び技術を独自に開発し又はかかる専有技術を手入し若しくは開示するおそれがあります。当社は、このような特許を受けない専有技術における当社の権利については、これを有効に保護できないおそれがあります。また、当社が研究を行う他の医薬化合物や技術について、第三者が権利を保有していたり、又はこれが第三者の特許権に服していたりする可能性もあります。これにより、当該研究に基づく製品が商品化された場合には、その販売活動が特許その他の権利を侵害し、これにより当社がかかる特許その他のライセンスを取得しなければならないことがあります。当社は、当社が保有し又はライセンスを許諾した特許について、第三者によるいかなる侵害も認識しておりません。当社はまた、第三者から、その知的財産権を当社が侵害したとする重大な請求を受けておりません。

当社がアサイニー、ライセンサー又は潜在的なライセンサーとして利益を有するような特許申請を、当社又は他の者が申請することにより、付与されるという保証はありません。また、かかる特許が付与されたとしても、類似の技術又は製品を有する競合会社に対して当社を保護するものとなるか、あるいは特許の保護を回避されたり異議を申し立てられたりすることがないかについては不確定です。例えば、当社は、多発性硬化症治療にMN-166を使用する方法、依存症治療にMN-166を使用する方法及び神経因性疼痛治療にMN-166を使用する方法について米国特許を取得しておりますが、MN-166についての組成物特許のクレームは失効したため有しておりません。従って、無関係の第三者が、MN-166に関する使用方法の特許、当社がライセンサーを通じて独占権を有するその他の特許又は当社が取得し得るの特許も侵害しないのであれば、当該第三者が、MN-166と同種のAPIを使用した製品を開発するおそれがあります。

加えて、当社の開発した製品がいずれの特許の対象ともならない場合、当社は、当該製品につき、米国においてはハッチ・ワックスマン法の5年間の新規化学物質専有に関する規定及び/又は欧州においては10年間のデータ専有に関する規定に基づく市場優先権の取得に依拠することになります。当社が、当局の承認取得後に当社の製品について強力な専有権の保護を得ることができない場合、競合会社は、長期にわたる臨床治験を要求されることなく当社製品との生物学的同等性を立証することが可能な簡易手続のみにより当局の承認を取得することによって、競合的なジェネリック製品を販売することができるようになる可能性があります。当社の特定のライセンス契約には、ジェネリック製品による競合が生じた場合には、ライセンス使用料を減額するか、場合により放棄する旨が定められております。

## 競合

新薬の開発及び商品化は競合が厳しく、広範な研究努力及び急速な技術進歩を特徴とします。業界における競合は様々な分野にわたっており、他社より先に新製品を開発及び販売すること、より低価格で既存製品と同一の効能を有する新製品を開発すること、並びに既存製品より優れた効能を有する新製品を開発することが挙げられます。当社は、米国及びその他の国々における医薬品企業及びバイオテクノロジー企業並びに多くの学術機関、研究機関及び政府機関との競合に直面しています。このような競合相手の中には、当社の製品開発プログラムが焦点とする疾患及び症状と同一のものを対象とした製品を有している、又はそのような医薬品を開発している企業若しくは機関もあります。当社の競合相手の多くは、承認済み若しくは開発後期段階にある製品を有しており、当社の製品よりも、効果的で安全性が高くコストが低い医薬品あるいは容易に投与することができる医薬品を開発に成功する可能性があります。また、当社の競合相手は、当社の製品より早期に特許権保護若しくは商品化を実現する可能性があります。当社の競合相手はまた、当社が製品に対する承認を取得することができたとしても、当該製品の市場をさらに狭めうる代替療法を開発する可能性があります。

当社が取扱う疾病分野の多くについて、異なる作用機序並びに魅力的な有効性及び安全性プロフィールを有する新たな化合物の開発に取り組む潜在的な競合相手が存在します。当社の競合相手の多くが、実質的に当社よりも優れた財務、研究開発資源（人的資源及び技術を含みます。）、臨床治験の経験、製造、販売及びマーケティング能力並びに製造施設を有しております。小規模企業もまた、独自の研究開発や大手医薬品企業及びバイオテクノロジー企業との提携関係により、重要な競合相手となる可能性があります。

### 多発性硬化症治療薬のMN-166

当社のMN-166の製品候補は、進行型多発性硬化症の治療薬として現在開発中です。進行型多発性硬化症治療薬としては、ミトキサントロン（mitoxantrone）のみが承認されております。しかしながら、ミトキサントロンは、心毒性の危険性のため長期的に使用することができません。

### 薬物依存症治療薬のMN-166

当社のMN-166の製品候補は、オピオイド離脱及びメタンフェタミン依存症の治療薬として現在開発中です。現在のオピオイド離脱症状の治療薬には、ジェネリック版メタドン等の麻薬並びにレキット・ベンキーザー・ファーマスーティカル・インクのSubutex®（ブプレノルフィン）やSuboxone®（ブプレノルフィン+オピオイド拮抗性ナロキソン）が含まれます。オピオイド依存症について承認済のその他の製品には、アルカミーズのVivitrol®（ナルトレキソン1ヶ月有効型注射剤）及びオレクソのZubsolv®（ブプレノルフィン及びナロキソン）が含まれます。当社は、オピオイド依存症の治療薬として、タイタン・ファーマスーティカルズ、バイオデリバリー・サイエンシズ等の製薬会社において、その他の化合物が開発中であることを認識しています。オピオイド離脱症状に対する非麻薬性の医薬品候補は限られています。米国での臨床試験における開発のためにユーエス・ワールドメド・エルエルシーに対してライセンスが供与されている、ブリタニア・ファーマスーティカル・リミテッドのBritLofex®（Lofexidine）は、クロニジン同様、 $\alpha_2$ アドレナリン受容体作動薬であり、起立性低血圧の制限が幾分少ない可能性があります。現在のところ、メタンフェタミン依存症の治療薬として承認されている医薬品はありません。

### 喘息急性発作治療薬のMN-221

当社のMN-221の製品候補は、緊急治療室における喘息急性発作の治療薬として現在開発中です。現在の一般的な喘息急性発作治療薬としては、吸入アルブテロール（ $\beta_2$ アドレナリン受容体作動薬）、吸入イプラトロピウム（抗コリン作動薬）及び経口若しくは注入コルチコステロイドがあります。さらに、テルブタリン（ $\beta_2$ アドレナリン受容体作動薬）の皮下投与が特に小児患者に対する治療薬として使用されることがあります。

### 非アルコール性脂肪性肝炎治療薬のMN-001

当社のMN-001の製品候補は、NASHの治療薬として現在開発中です。現在のところ、NASHの治療について承認された治療薬はありません。NASHを適応としていないFDA承認済の治療薬（メトホルミン、ロシグリタゾン等）のNASH患者に対する安全性及び有効性を判断するための試験が現在行われています。当社は、インターセプト・ファーマスーティカルズ及びラプター・ファーマスーティカルズ等の製薬会社において、その他の化合物がNASH治療のためにフェーズ2開発段階にあることを認識しています。その他の製薬会社もフェーズ1開発段階にある化合物を有しています。

### 固形癌治療薬のMN-029

当社のMN-029の製品候補は、固形癌の治療薬として現在開発中です。昨年度、HER2陽性転移性乳癌のためのHER2抗体チューブリン重合阻害剤複合体であるジェネンテックのカドサイラ®が、以前はトラスツズマブ及びノ又はタキサンによる治療を受けていた患者に対する治療薬として承認されました。転移性結腸直腸癌のキナーゼ阻害剤であるバイエルのスチバーガ®が、進行性、切除不能（外科的切除を行うことができません。）又は転移性の消化管間質腫瘍の患者について承認されました。当社は、イーライ・リリー・アンド・カンパニー、ホフマン・ラ・ロシュ及びノバルティス・ファーマスーティカルズ等の製薬会社において、その他の化合物が固形癌治療のために開発段階にあることを認識しています。

## 政府の規制

米国及びその他の各国の政府機関は、当社が開発するような医薬品及び生物製剤に関する研究、開発、試験、製造、表示、販売促進、広告、販売、サンプリング、マーケティング並びに輸入及び輸出について広範囲に規制しております。米国において、FDAは、連邦食品医薬品化粧品法（Federal Food, Drug and Cosmetic Act. その後の改正を含みます。）並びにその他の連邦法及び規制に基づき、医薬品について広範囲かつ厳密な検討を行っております。該当する規制要件を満たさない場合、承認の前後を問わず、当社、外部製造業者、請負業者、供給業者及び提携先は、例えば、承認の遅延、出願中の申請の承認拒否、罰金、行政警告書（warning letters）、製品のリコール、製品差押え、製造・販売の全部又は一部中止、差止命令及びノ又は刑事上の訴追等の行政上又は司法上の制裁を被ることがあります。

### 米国監督機関の承認

**概要** 米国においては、医薬品と医薬品の試験は、州や地域の政府機関に加えて、連邦食品医薬品化粧品法（「FDCA」）の下、FDAによる規制を受けます。すべての開発中の製品候補は、商品化前に、政府機関の承認を得なければなりません。当社は、FDAから新製品の承認を得るために、特に、安全性及び有効性を示すデータ並びに製品の製造や構成及び予定されている表示に関する詳細な情報を提出しなければなりません。当社の製品候補は試験の初期の段階にあり、同局の承認を受けたものではありません。医薬品が承認されるまでの一般的な手順は以下が含まれます。

- ・ 非臨床検査、動物研究及び製剤研究の完了。
- ・ IND（米国での人体臨床試験開始前に効力が生ずる必要があります。）の提出。
- ・ 製品候補につき承認申請の対象となる適応ごとの安全性及び有効性を確立するための、適切かつ十分に管理された人体臨床試験の完了。
- ・ FDAに対する多額の申請料を添えての新薬承認申請（「NDA」）の提出。
- ・ FDAの命ずる商業医薬品製造管理及び品質管理基準（「cGMP」）に合致した製造過程の開発、並びに、cGMPの遵守及び試験責任医師による医薬品の臨床試験の実施に関する基準（Good Clinical Practice）の遵守に関するFDAの査察の順調な完了。
- ・ FDAによるNDAの検討及び承認（諮問委員会からFDAへの意見並びに更なる臨床試験及び医薬品のリスク軽減のための販売制限に関する承認後のコミットメントを含むことがあります。）。

試験、データ収集、必要な申請の準備及び承認の手続には、膨大な時間、努力及び資金源が必要となります。加えて、法令、規則、規制及び政策が変更され、新たな規制が発令される可能性があります。そのような場合、当社の医薬品の承認が遅れる可能性があります。FDAは、迅速に又は当社に有利に当社の申請を検討するとは限りません。当社は、FDAによる承認を得る際に、著しい困難や膨大な費用に直面することがあり、その結果として当社の製品候補の販売が遅れる又は妨げられる可能性があります。

**前臨床試験** 前臨床試験は、製品候補、その化学的性質、毒性、剤形及び安定性の実験室評価と、当該製品候補の潜在的な安全性及び有効性を評価するための動物実験から成ります。前臨床試験の結果は、製造情報、分析データ及び製品候補に関して入手されるその他の情報と併せて、INDの一部としてFDAに提出されます。前臨床試験及び研究は完了までに数年の歳月を要することがあり、試験及び研究が完了したとしても、FDAが臨床試験の開始を許可しないこともあります。

**INDプロセス** 試験段階の医薬品を人体に投与するためにはINDが効力を生じていなければなりません。INDは、FDAがこれを受理してから30日後に自動的に効力が生じますが、この30日間において、FDAがINDの臨床試験差止めを命じた場合にはこの限りではありません。またFDAは、かかる30日間の満了後に、INDの書類に概要が記載されている試験の実施について懸念又は疑問を呈することがあり、FDAが適切であるとみなす場合、臨床試験の差止めを強制することもあります。この場合、INDを行った開発業者及びFDAは、臨床試験が開始・継続される前にかかる懸念を解消しなければなりません。INDは極めて多額の費用を要することがあり、当社の製品候補の開発を大幅に遅らせるおそれがあります。さらに、前臨床試験又は過去の人体試験における結果が肯定的であったとしても、必ずしもその後の臨床試験の結果が肯定的となると予測されるものではありません。

当社は、臨床試験の結果を詳述した進捗報告書を毎年FDAに提出しなければならず、また深刻かつ想定外の有害事象や、実験動物試験の結果で被験者への重大なリスクを示すものについては、IND安全性報告書をFDA及び試験責任医師に対して速やかに提出しなければなりません。

**臨床試験** 人体への臨床試験は、通常、重複する可能性のある3つの連続した段階を経て行われなければなりません。

- ・ 第1相（フェーズ1）：最初に少人数の健康な被験者又は患者に対して医薬品候補を投与し、安全性、許容投与量、吸収、分散、排出及び代謝についての検査を行います。被験製品を健康なボランティアに医療用として投与することが本質的に有害であると考えられる場合、最初の人体試験をターゲットの患者群に対して実施することも多くあります。
- ・ 第2相（フェーズ2）：少数の患者に対して医薬品候補を投与し、焦点を絞った特定の適応疾患に対する有効性、許容投与量及び最適用量を評価し、潜在的副作用並びに安全性リスクの有無を確認します。
- ・ 第3相（フェーズ3）：臨床効果及び安全性をさらに評価するために様々な地域の臨床試験施設において、より広範な患者群に対して医薬品候補を投与します。フェーズ3試験の目的は、医薬品候補のリスク/ベネフィット分析を行い、製品表示に十分な根拠を与えることにあります。FDAによるNDAの承認を得る上で、2回の適切かつ十分に管理されたフェーズ3試験を行うことが一般的です。

各臨床試験の開始に先行して、実施を申し出た各医療現場に対して、独立の試験審査委員会（IRB）が臨床試験の研究手順を検討のうえで承認しなければならず、また被験者に対しては、研究への参加に対するインフォームド・コンセントが行われなければなりません。

当社は、製品候補についてフェーズ1、2又は3の各臨床試験を完了することができるか、完了することができたとしても、特定の期間内に順調に完了できるかについては確証を得ることができません。臨床試験は、FDAの医薬品の臨床試験の実施基準の要件（「GCP」）に従って実施されなければなりません。FDAは、臨床試験がかかるFDAの要件に従っておらず、又は臨床試験の被験者に対して容認できないリスクを及ぼすと判断した場合には、何時でも臨床試験を部分的、一時的若しくは永続的に中止し、又はその他の罰則を課すことがあります。IRBは、臨床試験がIRBの要件に従っていなかった場合には、かかる現場における臨床試験を一時的あるいは永続的に中止し、又はその他の罰則を課すことがあります。当社はさらに、被験者又は患者が容

認できない健康上のリスクにさらされていることが明らかになった場合を含む様々な理由により、随時、臨床治験を一時的に中断するか又は打ち切る可能性があります。

当社は、新薬開発の過程で、INDの提出前、EOP2の時点及びNDAの提出前等にFDAとのミーティングを要求することがありますが、FDAとのミーティングはこれらの特定の機会に限られません。EOP2ミーティングは、フェーズ2臨床治験の結果について協議し、新薬の承認に役立つと当社が考えるフェーズ3主治験の計画を提示することを目的とするものです。進行中の臨床治験と並行して、追加的な動物安全性研究、製剤研究及び薬理学的研究も実施されます。また、新薬の品質、純度及び力価が基準を満たすものと見込まれる場合、cGMPの要件に従って、新薬を商業用規模で製造するためのプロセスを決定します。医薬品開発業者は、特別プロトコル査定（SPA）を要求することもできますが、これはフェーズ3臨床治験のプロトコル設計及び有効性の主張の基礎となる分析についてFDAの合意を得ることを目的とするものです。

**ファストトラック指定** FDAは、一定の基準を満たした新たな医薬品及び生物製品の承認審査のプロセスを迅速化又は円滑化することを目的としたファストトラック・プログラムを設けています。具体的には、新たな医薬品及び生物製品は、それらが重篤又は命に関わる状態の治療を目的とするものであり、かかる状態に対する新規の有効な治療法となる可能性を有する場合、ファストトラック指定の対象となります。ファストトラック指定は、製品と、その研究対象となっている特定の適応との組み合わせに対して適用されます。ファストトラック指定製品の場合、FDAは、医薬品開発業者がNDAの各セクションの提出スケジュールを提示し、FDAがNDAをセクション毎に受理することに同意し、また当該スケジュールが容認可能であると判断し、かつ医薬品開発業者が必要な利用者手数料を、NDAのセクションを最初に提出する際に支払う場合、完全な申請が提出される前に、NDAの各セクションを順次審査することを検討することができます。

ファストトラック・プログラム対象製品を含め、販売に向けてFDAに提出された製品は、開発及び承認審査の迅速化を目的とするFDAの他のプログラム（優先審査、迅速承認等）の対象となることもあります。優先審査は、他に十分な治療法が存在しない分野に安全かつ有効な治療法をもたらす可能性又は疾患の治療、診断若しくは予防において市販製品と比べて著しく向上する可能性を有する製品が対象となります。FDAは、承認審査を円滑化するため、優先審査の対象に指定されたNDAの評価に追加的な資源を投じるよう努めます。さらに、製品は迅速承認の対象にもなる場合があります。重篤又は命に関わる疾患の治療における安全性及び有効性が研究されており、かつ既存の治療法を上回る重要な治療効果をもたらす薬剤が、迅速承認を受けることができます。迅速承認とは、薬剤が、適切かつ十分に管理された臨床治験により、臨床的有效性が合理的に見込まれる代用エンドポイントに関して効果を有するか、又は生存若しくは不可逆的罹患を除く臨床的エンドポイントに関して効果を有すると証明されたことを根拠として承認されることをいいます。承認の条件として、FDAは、迅速承認を受ける薬剤の医薬品開発業者に対し、適切かつ十分に管理された販売後臨床治験の実施を要求することがあります。さらに、FDAは現在、迅速承認の条件として、販促資料の事前承認を義務付けており、これにより製品の市場での販売開始の時期に悪影響が及ぶ可能性があります。ファストトラック指定、優先審査及び迅速承認により、承認の基準が変わることはありませんが、開発又は承認プロセスが迅速化される可能性があります。

**米国における特許期間回復及び独占販売権** FDAによる医薬品候補の承認の時期、期間及び特性に応じて、製品候補に対する米国特許の一部が、1984年医薬品の価格競争と特許期間回復法（ハッチ・ワックスマン改正法）に基づく限定的な特許期間の延長の対象となる場合があります。ハッチ・ワックスマン改正法は、製品開発及びFDAによる規制上の審査の過程で喪失した特許期間の補償として、最大5年間の特許回復期間を認めています。但し、特許期間の回復において、特許の残存期間を製品の承認日から合計14年間を超えて延長することはできません。特許回復期間は、通常、INDの発効日からNDAの提出日までの期間の半分にNDAの提出日から申請の承認日までの期間を加えた期間とされます。延長の対象となるのは、承認された医薬品に適用される特許のうち一つのみで、延長申請は、特許期間の終了前になされる必要があります。特許期間の延長又は回復の申請の審査及び承認は、米国特許商標局が、FDAとの協議の下で行います。当社は将来的に、現在所有しているか又はライセンスを受けている特許の一つ又は複数について、臨床治験の予想期間や関連NDAの提出に関わるその他の要素に応じて、現行の特許期間終了日後まで特許期間を延長するための特許期間回復申請を行う可能性があります。

また、FDCAの独占販売権に関する規定により、他社による特定の申請であって別の会社のNDAを参照しようとするものの提出又は承認が遅れる可能性があります。新規化学物質に対するNDAの承認を取得した最初の申請者は、FDCAに基づき、米国内において5年間、特許なく独占的に販売を行う権利を与えられます。医薬品は、FDAが同様の活性部分（すなわち、原薬の作用に関与する分子又はイオン）を含有するその他一切の新薬に対して過去に承認を付与したことがない場合、新規化学物質とされます。独占期間中、FDAは、他社が当該医薬品の別のバージョンに関して行う簡略新薬申請（「ANDA」）又は505(b)(2)NDAの審査要求であって、申請者が承認に必要なすべてのデータを参照する法的権利を有しないものを受理することはできません。但し、イノベーターNDA保有者によってFDAに登録された特許の一つについて特許の無効性又は非侵害性の証明を含む申請であれば、4年後以降提出することができます。FDCAはまた、申請者が実施又は出資した新規臨床治験（バイオアベイラビリティ研究を除きます。）が申請の承認において不可欠であると見なした場合、既存の医薬品の新規の適応疾患、投与量若しくは効能等について新規若しくは補足的になされたNDAの承認について3年間の独占販売権を付与します。この3年間の独占権は、新規臨床治験に関連する条件のみを対象とするものであり、FDAによる、元となる活性薬剤を含む医薬品に関するANDAの承認を禁止するものではありません。5年間及び3年間の独占権により、完全なNDAの提出又は承認が遅延することはありません。但し、申請者は、完全なNDAを提出するにあたり、安全性及び有効性を示すために必要なすべての前臨床研究及び適切かつ十分に管理された臨床治験を実施するか、又はこれらを参照する権利を得る必要があります。小児独占権も、米国における規制上の独占販売権



の種類の一つです。小児独占権が付与された場合、既存の独占期間及び特許期間に6カ月が追加されます。この6カ月間の独占権は、他の独占権保護期間又は特許期間の終了後に適用開始され、FDAにより公表された小児治験に関する「要求書」に基づく小児治験の自主的な完了に応じて付与されます。

**米国外における規制** 米国内における規制に加え、当社及び当社の戦略的提携先は、臨床治験並びに当社製品の商業的な販売及び流通等に関する他の法域における様々な規制の対象となります。

当社は、製品に関してFDAの承認を得るか否かにかかわらず、外国における臨床治験の開始や製品の販売開始に先立って、かかる国の規制当局から必要な承認を得なければなりません。米国外の一部の国では、人体臨床治験開始前にINDのような臨床治験申請を提出することを義務付ける、米国と同様のプロセスが設けられています。例えば、欧州連合では、各国の保険当局及び独立倫理委員会（それぞれFDA及びIRBに相当するもの）に対して臨床治験申請（CTA）を提出しなければなりません。各国の要件に従ってCTAが承認された後に、臨床治験開発を進めることができます。

臨床治験の実施、製品のライセンス、価格決定及び還付に関する要件及びプロセスは、各国毎に異なります。いずれの場合にも、臨床治験は、GCP、適用ある規制上の要件及びヘルシンキ宣言に基づく倫理的原則に従って行われます。

欧州連合の薬事制度の下で被験薬に対する規制当局の承認を得るためには、当社又は当社の戦略的提携先は、市場化に係る認可の申請を行う必要があります。各国毎に必要な書類等を除き、米国でNDAを提出する際の申請は、欧州連合で義務付けられるものと類似しています。

欧州連合以外の国（東欧、ラテンアメリカ又はアジア等の国々）については、臨床治験の実施、製品のライセンス、価格決定及び還付に関する要件は、各国毎に異なります。いずれの場合にも、上記と同様に、臨床治験は、GCP、適用ある規制上の要件及びヘルシンキ宣言に基づく倫理的原則に従って行われます。

当社又は当社の戦略的提携先は、適用ある外国規制要件を遵守できない場合、罰金、規制当局の承認の保留又は撤回、製品のリコール、製品差押え、営業の規制及び刑事上の訴追等の対象となる可能性があります。

## 第3【事業の状況】

### 1【事業等のリスク】

本書に記載されるその他の情報と併せて、本書に参照することにより組み込まれる2013年12月31日に終了した事業年度についての有価証券報告書における「事業等のリスク」で記された、当社の事業、財務状況又は将来の業績に重大な影響を与える様々な要素を慎重に考慮することを推奨いたします。当社が直面するリスクは、有価証券報告書に記載されるリスクだけではありません。当社が現在認識していない又は現在重大だと考えていない新たなリスク及び不確実性が、当社の事業、財務状況及び業績に重大な悪影響を与える可能性があります。2013年12月31日に終了した事業年度についての有価証券報告書に記載した「事業等のリスク」について、重要な変更はありません。

### 2【経営上の重要な契約等】

経営上の重要な契約等については、第2「企業の概況」2「事業の内容」の「知的財産権及びライセンス契約」及び本第3「事業の状況」の3「財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析」をご参照ください。

### 3【財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況の分析】

下記の内容については、第5「経理の状況」並びに本書に含まれる四半期財務書類及び関連する注記と併せてお読みいただくことを推奨いたします。下記に記載する内容には、リスク及び不確定事項といった将来についての記述が含まれております。1「事業等のリスク」で記された様々な要素により、当社の実際の業績が、これらの将来の見通しに関する記述で明示的又は黙示的に示されたものとは大幅に異なる結果となる可能性があります。

## 概況

当社は、米国市場に重点を置き、まだ十分に有効な治療法がない重篤な疾患に対する治療のために新規の医薬品の獲得及び開発に特化する生物医薬品企業です。当社は現在、進行型多発性硬化症（MS）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）及び薬物依存症（メタンフェタミン依存症及びオピオイド依存症等）等の神経疾患に関するMN-166（イブジラスト）、並びに非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）、特異性肺線維症（IPF）及びその他の線維症に関するMN-001（ティベルカスト）の開発活動に重点を置くことを戦略としています。また、当社のパイプラインには、喘息急性発作治療薬のMN-221（ペドラドリン）及び固形癌に関するMN-029（デニプリン）が含まれます。当社は、2000年9月にデラウェア州で設立されました。

当社は、設立以来多額の純損失を負ってきました。2014年9月30日現在、当社の累積赤字は308.2百万米ドルでした。当社は、特定の既存の製品開発プログラムの開発を継続することにより、今後数年間相当な純損失を計上することを見込んでおり、また、研究開発プログラムの拡張、及び製品、技術若しくは事業の取得又はライセンス導入が実施された場合にも、長期間にわたり相当な純損失を計上する可能性があります。

当社は、まだ十分に有効な治療法がない重篤な疾患に対する高付加価値な治療分野における差別化された製品の開発の成功によって、持続可能な生物薬剤事業を構築することを目標としております。当社の戦略の主要な要素は以下のとおりです。

・ 主に非希薄化の資金調達を手段とする、複数の潜在的適応疾患に関するMN-166の開発の推進

当社は、治験責任医師から資金援助を受けた治験及び政府の助成金又はその他の助成金を通じて資金援助を受けた治験の双方により、多様なMN-166（イブジラスト）プログラムを前進させるつもりです。当社は、医薬品の供給及び規制上の支援の提供に加えて、共同事業体から資金援助を受けた治験の一部に対し資金を提供しています。例えば、当社はこれまでに、米国国立衛生研究所（NIH）が主に資金供与する進行型多発性硬化症治療薬としてのMN-166の多発性硬化症二次進行型・一次進行型イブジラスト・ニューロネクスト治験（SPRINT-MS）フェーズ2臨床治験に財政的にサポートしており、カロライナ・ヘルスケアシステムの神経筋/ALS・MDAセンターによるALS治療薬としてのMN-166の臨床試験への財政的なサポートも企図しています。当社は、MN-166の臨床開発をさらに進めるため、新たな戦略的提携を締結することを企図しています。

・ NASH及びIPFを含む線維症に関するMN-001の開発の推進

・ 後期段階の製品開発の完了及び当社の製品の商品化の成功に向けた大手製薬会社との戦略的提携

当社は、大手製薬会社と関係を築き、それを維持してきました。当社は、プルーフ・オブ・コンセプトフェーズ2臨床治験の完了後、さらなる臨床開発及び製品の商品化を進めるため、MN-166、MN-221、MN-001及びMN-029等の後期段階の製品候補を求めている大手製薬会社と戦略的提携関係を構築する予定であります。

当社は、2011年9月27日付けで、浙江医[?]股份有限公司（Zhejiang Medicine Co., Ltd.）及びBeijing Medfron Technologies Co., Ltd.（旧北京美福[?]医[?]科技有限公司（Beijing Make-Friend Medicine Technology Co., Ltd.））との間で合併会社の設立に関する契約を締結しました。かかる合併事業契約は、中国においてMN-221の開発及び商品化を行うとともに、更なる開発対象の化合物を模索するための合併会社である浙江森迈医[?]生物技[?]有限公司（Zhejiang Sunmy Bio-Medical Co., Ltd.）（「Zhejiang Sunmy」）について定めたものです。本件には、Zhejiang Sunmyが当社からMN-221のライセンスを受けるためのサブライセンスが必要となります。当社は合併事業契約に従い、2012年3月、Zhejiang Sunmyの30%の持分に相当する680,000米ドルを支払いました。合併契約の他の当事者は、合わせて70%の持分に相当する資金を提供しました。2013年12月、合併会社の取締役会は、中国政府の承認を得ることを条件に、浙江医[?]股份有限公司の分離を認める合併事業契約の修正について合意しました。2014年8月、中国政府は、合併事業契約の修正を承認し、浙江医[?]股份有限公司の分離を認めました。2014年9月30日現在、Beijing Medfron Technologies Co., Ltd.及び当社は、合併会社の50%の持分をそれぞれ有しています。残存するいずれの当事者も、追加的な資本は拠出していません。本書の日付現在、当社と合併会社の間でMN-221のサブライセンス契約はまだ締結されておりません。サブライセンス契約の締結、及びZhejiang Sunmyが中国でMN-221の開発を進めることが可能であるかについて、保証することはできません。Zhejiang Sunmyは変動持分事業体であり、当社はその取締役会において過半数を占めておらず、同社の行為を指示する又は重大な影響を及ぼす権限を有していないため、同社の主たる受益者ではありません。従って、当社は持分法に基づき、当社の持分の割合に応じてZhejiang Sunmyの損失又は収益を分担することにより、同社の活動を決算に反映いたします。2014年9月30日付けで、当社は連結貸借対照表において、Zhejiang Sunmyに対する当社の投資を表す長期資産（発生した損失又は収益の当社の割合に応じた部分を控除後）を反映しました。

当社は、更なる臨床開発の実施に関して下す決定に応じて、追加的な資本調達を要する可能性があります。当社はまた、潜在的なパートナーシップ及び米国外の市場における当社プログラムのライセンスの導出先を模索する可能性があります。

#### 収益及び営業収益原価

2011年10月、当社は、払戻不要の2.5百万米ドルを前払いで受領する代わりに、MN-221に関する研究開発業務を実施する契約をキッセイ薬品との間で締結いたしました。かかる契約に基づき、当社は、かかる業務の実施において生じる一切の費用を負担します。かかる開発業務の一部は2013年及び2012年中に完了し、未完了の業務については今後実施され、完了する見込みです。当社は、当局の指針に従って成果物を査定し、一つの成果物（すなわち研究開発業務）が存在すると判断いたしました。2.5百万米ドルの前払金は、当初は繰延収益に計上されました。2014年及び2013年9月30日に終了した9カ月において、当社は、研究開発業務を実施した際に、0米ドル及び3,257米ドルの収益をそれぞれ計上しました。2014年及び2013年9月30日に終了した四半期において、当社は、収益を計上しておりません。

#### 研究開発及びパテント費

当社の研究開発及びパテント費は、主に当社の製品候補に関するライセンス料、給与及び関連従業員手当、当社の製品開発プログラムの前臨床及び臨床開発に関連する費用、並びに薬事申請等の非臨床活動及び商品化に先立つ製造開発活動にかかる費用から構成されております。当社は、臨床治験並びに当社の製品候補の前臨床及び臨床開発に関して行われる業務の大部分において使用される当社の化合物の製造を、外部業務提供者に委託しております。研究開発及びパテント費には、当社の知的財産に関する法律業務、特許及び特許出願に伴う顧問報酬及び費用を含む、顧問、委託研究機関、委託製造業者その他外部業務提供者に支払われる報酬が含まれます。内部の研究開発費用には、研究開発人員に支払う報酬その他費用、備品、設備費用及び減価償却費が含まれます。研究開発及びパテント費は、発生の都度、必要経費として使用されます。

下表は、当社の研究開発及びパテント費の合計を下記期間についてカテゴリー別にまとめたものです。

(単位：上段/千米ドル 下段/百万円)

	9月30日に終了した四半期		9月30日に終了した9カ月	
	2014年	2013年	2014年	2013年
外部開発費：				
MN-221	2 (0.2)	20 (2)	8 (0.9)	31 (4)
MN-166	173 (20)	130 (15)	850 (100)	601 (71)
MN-001	232 (27)	32 (4)	361 (43)	46 (5)
MN-029	1 (0.1)	6 (0.7)	1 (0.1)	17 (2)
外部開発費合計	408 (48)	188 (22)	1,220 (144)	695 (82)
研究開発人員の費用	309 (37)	382 (45)	843 (100)	1,124 (133)
研究開発設備費用・減価償却費	14 (2)	12 (1)	34 (4)	42 (5)
パテント費	130 (15)	153 (18)	296 (35)	454 (54)
その他の研究開発費	32 (4)	51 (6)	84 (10)	113 (13)
研究開発及びパテント費合計	893 (106)	786 (93)	2,477 (293)	2,428 (287)

### 一般管理費

当社の一般管理費は、主に給与、扶助金並びに当社の総務、財務、人事、事業開発、法務、情報システムなどのサポート機能に関して顧問及び専門職に支払う費用、設備費及び保険料から構成されております。一般管理費は必要経費として使用されます。

### 重要な会計方針及び見積り

当社の財務状態及び経営成績の分析は当社の財務書類に基づいており、これらは米国において一般に公正妥当と認められている会計原則（GAAP）に従って作成されております。財務書類の作成にあたり、当社は見積り及び判断を行わなければならない、これらの見積り及び判断は、計上された資産、負債及び費用の額並びに関連する開示に影響を与えます。当社は、研究開発及びパテント費、株式報酬費用、並びにのれん及び取得無形固定資産、リース関連活動、投資及び固定資産に関連するものも含め、継続的に当社の見積りを見直しております。当社の見積りは、これまでの経験、第三者から取得した情報及び当社が状況に応じて合理的であると判断するその他の仮定に基づいており、これが他の情報源からは容易に判断できない資産及び負債の簿価に関する判断の基礎となります。異なる仮定又は条件の下では、実際の業績がこれらの見積りとは異なる場合があります。重要な見積り及び判断を要する財務書類の項目は以下のとおりです。

#### 研究開発及びパテント費

研究開発及びパテント費は、実施された作業の見積り、達成された目標、患者の登録及び同様の契約経験など契約上の一定の要因に基づき、発生都度、費用に計上されます。見越し額は、実際の費用が計上された時点で調整されます。本書の日付現在、当社の未払いの研究開発及びパテント費と実際の負担費用との間に大幅な差異は見られません。

#### 株式報酬費用

当社は、2013年ストック・インセンティブ・プランに基づき、当社の従業員及び取締役に対し、当社の普通株式を購入するオプションを付与しております。更に当社は、当社の修正及び改訂後2004年ストック・インセンティブ・プラン並びに2000年ジェネラル・ストック・インセンティブ・プランに基づいて付与した発行済のストック・オプションも有しています。当社の2007年従業員株式購入プランに基づき、フルタイムの従業員は、募集期間の開始時現在の公正価値の85%又は6カ月間の各募集期間の終了時現在の公正価値の85%のいずれか低い金額で、給与天引きにより普通株式を購入することができます。これらすべてのプランに基づく給付金の支給においては、ストック・オプション、従業員株式購入制度等の従業員に発行されたエクイティ証券報奨としての株式報酬費用を、連結財務書類上の費用として認識することが義務付けられます。かかる報酬の費用は、付与日における公正価値により測定され、従業員がかかる報酬に対応する役務を提供しなければならない期間（一般的には権利確定期間）につき定額法にて認識されます。当社は随時、従業員業績連動型ストック・オプションを発行し、その権利確定は、後に一定の企業目標の達成に関する当社取締役会の判断に基づき行われます。取締役会がかかる判断を下した日が、かかる報酬の付与日となります。付与日までの期間において、かかる報酬の費用は、各報告日現在の公正価値により測定されます。株式報酬費用に関する測定可能な市場価格が存在しない場合、付与日における公正価値は、報酬の行使価格、報酬の予測期間、潜在株式の時価、潜在株式の価格の予想される変動率、潜在株式の予測配当、及びリスク・フリー・レート等の様々な要因を考慮に入れた評価方法に基づき算出されます。

当社のストック・オプション付与の査定条項は、見積り変動率及び予想寿命等、一部の 변수 についての見積りを、当社に対して義務付けるものです。仮に当社の見積りに変化が生じた場合、かかる変化が、当社が認識する株式報酬費用額に重大な影響を及ぼす可能性があります。

#### のれん及び取得無形固定資産

のれんは、買収に関して支払われる対価が、取得した事業に関して識別された純有形固定資産及び純無形固定資産の公正価値を上回る場合に計上されます。買収における購入価格の割当においては、購入価格を、それぞれの公正価値に基づいて、識別される取得有形固定資産及び取得無形固定資産並びに引受負債に割り当てるために広範な会計上の見積り及び判断を用いることが要求されます。加えて、企業結合において、購入価格の一部はのれんにのみ割り当てることができるため、当社は、取得した事業体を事業とみるか、純資産の集合とみるかについて決定しなければなりません。のれん及び耐用年数が無限とみなされる無形固定資産は償却されませんが、年1回の減損テストの対象となります。耐用年数が有限の無形固定資産の金額及び耐用年数の評価には、見積りの使用及び判断の行使が必要となります。かかる判断は、当社の営業損益（純額）に重要な影響を及ぼします。2014年9月30日現在、のれん及び仕掛研究開発費（IPR&D）は、それぞれ9.6百万米ドル及び4.8百万米ドルでした。

当社は、少なくとも年1回第4四半期に、又は減損の兆候がある場合にはより頻繁に、のれん及び取得無期限無形固定資産の減損テストを実施いたします。当社はまた、当社の長期性資産の簿価及び見積耐用年数を定める上で用いた当初の前提及び根拠を定期的に再評価いたします。こうした評価の基準には、資産が将来的に営業利益及びポジティブ・キャッシュ・フローを

生み出す継続的な能力、並びに当社の経営目標における無形固定資産の戦略的重要性に関する経営陣による見積りが含まれます。資産の減損が生じたときみなされる場合、認識された減損は、かかる資産の簿価とかかる資産の公正価値との差額となります。

## 業績

### 2014年及び2013年各9月30日に終了した四半期の比較

#### (研究開発及びパテント費)

2014年及び2013年各9月30日に終了した四半期の研究開発及びパテント費は、それぞれ0.9百万米ドル及び0.8百万米ドルでした。

#### (一般管理費)

2014年及び2013年9月30日に終了した四半期の一般管理費は、1.5百万米ドルでした。

### 2014年及び2013年9月30日に終了した9カ月の比較

#### (研究開発及びパテント費)

2014年及び2013年各9月30日に終了した9カ月の研究開発及びパテント費は、それぞれ2.5百万米ドル及び2.4百万米ドルでした。

#### (一般管理費)

2014年9月30日に終了した9カ月の一般管理費は、2013年9月30日に終了した9カ月の一般管理費5.0百万米ドルと比べて0.6百万米ドル減少し、4.4百万米ドルとなりました。この一般管理費の減少は、主に専門家に対する報酬の減少及び継続的な費用抑制努力によるものです。

## 流動性及び資本資源

2014年9月30日に終了した9カ月において営業活動により調達された現金純額は、2013年同期において営業活動に使用された現金純額6.6百万米ドルに対し、1.8百万米ドルでした。かかる8.4百万米ドルの変動は、主に、2013年第4四半期におけるジェンザイムの目標達成収益に関して2014年に回収された6.0百万米ドルの売掛債権、2014年9月30日に終了した9カ月における、2013年12月31日に前払いされた費用の事業目的利用及び継続的な費用抑制努力によるものでした。

2014年9月30日に終了した9カ月において財務活動により調達された現金純額は、2013年同期における13.3百万米ドルに対し、3.4百万米ドルでした。財務活動により調達された現金の減少は、2013年に対し2014年に売却された普通株式の株式数が減少したためです。

2012年8月20日、当社は、アスパイア・キャピタル・ファンド・エルエルシー（「アスパイア」）との間で新株購入契約を締結いたしました。同契約に従い、2年間の契約期間中、当社は、総額200万米ドル（契約締結に関連してアスパイアが購入した普通株式100万米ドルを含みます。）を上限とする当社普通株式をアスパイアに対して随時売却することができました。同契約の下で、発行可能な株式数の上限は3,231,096株（契約締結にあたりまずアスパイアが発行した普通株式363,636株を含みます。）です。当社は、契約期間中の営業日に、売却日における当社普通株式の最低売却価格、又は購入日の直前の営業日に終了する12連続営業日中の3つの最低終値の平均のいずれか低い金額の購入価格によって、1営業日当たり500,000米ドルを上限に最大で50,000株を購入するようアスパイアに指図することができました。加えて、当社は、契約期間中の営業日に、翌営業日に取引される当社株式の総株式数の15%（かかる制限は、当事者の相互の合意により30%まで増加することができます。）を超えない範囲で、株式の出来高加重平均購入を行うようアスパイアに指図することができました。その購入価格は、当社が設定する最低市場価格基準及び特定のその他の例外に従うことを条件に、売却日における終値、又は翌営業日のNASDAQの出来高加重平均価格の95%のいずれか低い金額とします。2013年9月30日に終了した9カ月において、当社は、同契約に基づき、3.9百万米ドルの総収益をあげました。当社は、2013年9月30日以降アスパイアに対する当社普通株式の売却を行っておらず、2013年10月17日に同契約を解除いたしました。

2013年5月9日、当社は特定の適格投資家との間で有価証券購入契約を締結いたしました。同契約に従い、当該投資家に対して当社普通株式1,158,730株を1株当たり3.15米ドルで、及び当社普通株式合計869,047株を1株当たり行使価格3.15米ドルで購入するためのワラントを売却することに合意しました。引受手数料並びに募集費用の控除後の同取引により、純額で3.4百万米ドルの手取金を受領しました。

2013年4月17日、当社はマッコリー・キャピタル(USA)インク(「MCUSA」)との間でATM新株購入契約(at-the-market equity distribution agreement)を締結いたしました。同契約に従い、当社はMCUSAを通じて発行価格総額6百万米ドルを上限とする当社普通株式を随時売却することが可能でした。2013年9月30日に終了した9カ月において、当社は、同契約に基づき、純額5.3百万米ドルの手取金を受領しました。

当社は、2013年10月16日付けで、MCUSAとの間で第2回ATM新株購入契約を締結しました。当社は、同契約に基づき、MCUSAを通じて発行価格総額10百万米ドルを上限とする当社普通株式を随時売却することができます。契約の条件に基づき、別途相互に合意した場合を除き、売却される当社普通株式数は(i)発行価格総額50,000米ドル又は(ii)発行通知日に先立つ5日間若しくは3カ月間のNasdaqにおける一日当たり平均出来高の10%のいずれか低い方(東京証券取引所(「TSE」)のJasdaq市場における5日間又は3カ月間の一日当たり平均出来高のいずれか低い方の10%がこれを上回る場合を除きます。この場合、TSEにおける価格が使用されます。)を超えることはできません。また、1株当たりの価格は(i)1.29米ドル又は(ii)直近の取引日のNasdaqにおける普通株式の終値のうちいずれか高い方の価格を下回ってはなりません。MCUSAは、当社普通株式を売却するためにその通常の取引及び売却に関する慣行並びに適用ある法令及び規則に従って商取引上合理的な努力を払うことに合意し、また、法律によって認められ、「時価」によると見なされるあらゆる方法にて当該株式を売却します。当社は、MCUSAに対して手数料として、同契約に基づき売却された普通株式による手取金総額の7.0%を支払うことに合意しました。MCUSAは、同契約により株式を購入するいかなる義務も負わず、また、MCUSAが成功裡に株式を売却するという保証はありません。当社の収益は、MCUSAに売却される普通株式の数及び各取引の1株当たりの購入価格に左右されます。MCUSAとの同契約では、MCUSAと当社の両方に、5営業日前までの書面通知により単独の裁量にて同契約を解除する権利が認められています。2014年9月30日までに、当社は同契約に基づき、当社普通株式1,665,500株を1株当たり2.01米ドルから2.58米ドルまでの間の価格で売却し、総額3.6百万米ドル、純額3.1百万米ドルの手取金を受領しました。

2014年及び2013年各9月30日に終了した9カ月において、2011年3月23日に行われた2,750,000ユニット(各ユニットは普通株式1株及び1個のワラントで構成されています。)の公募に関してそれぞれ85,500個及び121,666個のワラントが行使され、当社はそれぞれ0.3百万米ドル及び0.4百万米ドルの手取金を受領しました。

2014年及び2013年各9月30日に終了した9カ月において、それぞれ15,000個及び79,462個のストック・オプションが行使され、それにより当社はそれぞれ38,850米ドル及び0.2百万米ドルの手取金を受領しました。

2014年9月30日現在、当社は、11.9百万米ドルの利用可能な現金及び現金同等物と、11.5百万米ドルの運転資金を有しています。当社は、本書の日付現在当社が有する運転資金が、少なくとも2015年12月31日までの事業運営の資金需要を充足すると考えています。しかしながら、予定されている当社のすべての研究開発プログラムを実施するためにかかる資本資源が十分であると保証することはできません。当社は、この他にも、当社普通株式の売却又はその他戦略的イニシアチブを通じて資本を調達する機会を模索しています。当社が合意可能な条件に基づく十分な資金調達を利用できるか、又はそもそも資金調達を利用できるかについて、保証することはできません。当社が追加資金を調達できない場合、当社は一つ以上のプログラムを売却し、又は営業を停止しなければならなくなる可能性があります。

### オフ・バランスシートの取り決め

2014年9月30日現在、当社は、オフバランス取引の実現を容易にするために設立される、ストラクチャード・ファイナンスの変動持分事業体若しくは特別目的事業体などと呼ばれる非連結の事業体又は金融上のパートナーシップとの関係を有しておりません。更に当社は、非取引所取引に係る取引活動は行っておりません。従って、当社はそのような関係を有していた場合に生じうる資金調達リスク、流動性リスク、市場リスク又は信用リスクにはさらされておられません。当社はまた、本書において開示するものを除き、当社又は当社の関連事業者との非独立的な関係により利益を得るような個人又は事業体と、関係及び取引を有しておりません。

### 市場リスクに関する量的及び質的開示

金利の変動による主な市場リスクは、当社が投資ポートフォリオから獲得することができる利子所得の増減に主な影響を与えます。当社の投資活動の主たる目的は、元本を保護することであり、但し、金利の変動が当社にとってリスクとなるのは、当社が、特にその影響を受けやすい金融商品へ投資した場合に限られます。当社は、金利の変動によるリスクを回避するため、金利デリバティブ商品を扱っておりません。当社は、投資適格の高い有価証券に投資することにより、デフォルト・リスクを緩和しております。仮に、利回り曲線(イールド・カーブ)すべてにおいて100ベース・ポイントの下落があっても、当社の保有する金利変動型金融商品の公正価値は、その相対的な短期性により、重大な影響を受けることはありません。

2014年9月30日現在の現金及び現金同等物は11.9百万米ドルであり、これらは主に短期金融市場の利付口座又はマネー・マーケット・ファンドに投資されました。仮に、当社の現金及び現金同等物の平均金利について10%の不利な変動があっても、2014年9月30日に終了した四半期及び9カ月における当社の純損失が重大な影響を受けることはありません。

## 第4【提出会社の状況】

### 1【株式等の状況】

#### (1) 株式の総数等

株式の総数 (2014年9月30日現在)

	授権株数	発行済株式総数	未発行株式数
普通株式	100,000,000株	24,177,317株	75,822,683株(注)
優先株式	3,000,000株	220,000株	2,780,000株

(注) オプションの行使により発行される予定の株式の数、種類等につきましては、第1「本国における法制等の概要」1「会社制度等の概要」(2)「提出会社の定款等に規定する制度」中の「オプション」の項の項をご参照ください。



発行済株式 (2014年9月30日現在)

記名・無記名の別 及び額面・無額面 の別	種 類	発行数	上場金融商品取引所名 又は登録認可金融商品取引業協会名	内容
記名・額面 (額面金額0.001 米ドル)	普通株式	全額払込済 24,177,317株	東京証券取引所JASDAQ市場(スタン ダード)  ナスダックグローバル市場 (Nasdaq Global Market)	(注1)
記名・額面 (額面金額0.01米 ドル)	シリーズB 優先株式	全額払込済 220,000株	-	(注2)
計	-	24,397,317株	-	-

(注1) 普通株式の内容

( ) 配当

当社の発行済普通株式の株主は、取締役会の随時の決定により、配当金の支払に充てることが法律上可能な資産から配当金を受け取る権利を有します。但し、当社の発行済優先株式の保有者の優先配当権に劣後します。

( ) 議決権

普通株式の各株主は、株主による議決権行使の対象である全ての事項(取締役の選任を含みます。)に関し、その保有する普通株式1株につき1個の議決権を有します。当社の基本定款には、取締役の選任に関する累積投票の規定は設けられておりません。つまり、行使された議決権の過半数を有する株主が当該時点における現行取締役を全員選任できることとなります。

( ) 先買権、転換及び償還

当社の普通株式には先買権は付与されておらず、転換及び償還はできません。

( ) 清算及び解散

清算又は解散する際、普通株式の株主は、負債及び優先株式の優先的分配権に基づく支払を全てなした後の会社の全ての残余資産の一切を、その保有する株式の数に比例して受領する権利を有しております。

(注2) シリーズB優先株式の内容

( ) 配当請求権

- a. 普通株式について配当が支払われる場合、当社は、全発行済シリーズB優先株式について、(普通株式に転換されたものと仮定して)普通株式1株につき支払われた又は引き当てられた金額と同額の配当を支払います。
- b. (i)-aは、普通株式についてのみ支払われる配当には適用されません。かかる配当には、( )-fの規定が適用されません。

( ) 議決権

- a. デラウェア州一般会社法又は第( )-bにより特に要求される場合を除き、シリーズB優先株式の保有者は、当社の株主による決議事項について議決権を有さず、また、株主に付議されずになされる会社の行為に対し同意・不同意を表明することはできません。デラウェア州一般会社法により要求される場合を除き、シリーズB優先株式は、かかる事項についての賛成数・同意数及び議決権を行使することができる株式の数・同意することができる株式の数の算定にあたっては考慮されません。
- b. 以下の当社の行為については、発行済シリーズB優先株式の過半数の保有者の同意が必要です。
  - (a) 配当又は清算事由に伴う分配について、シリーズB優先株式と同等又はより上位の権利、優先権又は特権を有する種類又はシリーズの株式(当社のシリーズA参加型優先株式(以下「シリーズA優先株式」といいます。))を除きます。)を、再分類又はその他の方法により新たに創設すること。
  - (b) 定款の修正、変更又は(吸収合併、新設合併その他の事由による)破棄(指定証書の提出を含みます。)であって、発行済シリーズB優先株式の保有者に対して、その他の種類及びシリーズの当社の発行済株式とは異なる形で重大な悪影響を及ぼすこととなるもの。

( ) 清算の権利

- a. 任意か否かを問わず当社につき清算又は解散がなされる場合(以下「清算事由」といいます。)、シリーズA参加型優先株式の指定証書第6(a)条に規定されるシリーズA優先株式の残余財産優先分配権を支払った後、適宜発行されるシリーズ優先株式の権利が毀損されないことを条件として、法的に株主に分配可能な当社の残余財産は、普通株式の保有者及びシリーズB優先株式の保有者の間で、各保有者が保有する普通株式の数又は各保有者が保有するシリーズB優先株式の転換により発行可能な普通株式の数に応じて、比例分配されます。

( )資産の譲渡又は買収に係る権利

- a. 当社が買収又は資産の譲渡（それぞれこの( )において定義されます。）の当事者である場合、シリーズB優先株式の各保有者は、その時点で保有するシリーズB優先株式のそれぞれにつき、上記( )-aに従い清算事由が生じた場合に受領する権利を有する現金、有価証券又はその他の財産の額を、かかる買収又は資産の譲渡の収益から受領する権利を有します。シリーズB優先株式の保有者に支払われるべき額は、普通株式の保有者に対する支払（普通株式に転換されたものと仮定して）と同順位にて支払われます。
- b. ( )において、(a)「買収」とは、1社又は複数の当社の非関連会社との取引又は一連の関連取引であって、当該当事者が、当社又は当社若しくは存続会社の取締役会の過半数を選任する議決権を有する存続会社の株式資本を取得する取引（当社の株式の吸収合併、新設合併、売却又は譲渡によるかを問いません。）をいいます。但し、当社若しくは承継会社が現金を受領するか、当社の債務が取消若しくは転換されるか、又はその両方が生じるような真正なエクイティ・ファイナンスを主たる目的とした取引又は一連の取引は買収には含まれません。また、( )条において、(b)「資産の譲渡」とは、連結ベースで当社の全て又は実質的に全ての資産につき、売却、賃貸借、譲渡その他の処分がなされる取引又は一連の関連取引をいいます。
- c. 買収又は資産の譲渡において、受領する対価が有価証券又は現金以外のその他の財産である場合、その価額は、取締役会がその時点で誠実に定める公正市場価格とみなされます。

( )転換権

シリーズB優先株式の保有者は、シリーズB優先株式の普通株式への転換について、以下の権利及び制限を有します（以下「転換権」といいます。）。

a. 転換オプション

( )に従い、シリーズB優先株式は、保有者の選択により何時でも、全額払込済かつ追加払込義務のない普通株式に転換することができます。シリーズB優先株式の保有者が転換に伴い受領する普通株式の数は、その時点で有効なシリーズB優先株式転換率（( )-bに従い決定されます。）と転換されるシリーズB優先株式の株式数を乗じた値とします。

b. シリーズB優先株式転換率

シリーズB優先株式の転換について有効な転換率（以下「シリーズB優先株式転換率」といいます。）は、シリーズB優先株式の当初発行価格（以下に定義されます。）を( )-cの規定に従い計算されるシリーズB優先株式転換価格で割った割合とします。シリーズB優先株式の「当初発行価格」は、1株当たり25.00米ドルとします（シリーズB優先株式の指定証書の申請日以降、当該株式に係る株式分割、配当及び類似の項目について調整されます。）。

c. シリーズB優先株式転換価格

シリーズB優先株式の当初転換価格は、1株当たり2.50米ドルとします（以下「シリーズB優先株式転換価格」といいます。）。当初のシリーズB優先株式転換価格は、本( )に従い適宜調整されます。シリーズB優先株式の指定証書におけるシリーズB優先株式転換価格とは、このように調整されるシリーズB優先株式転換価格を意味します。

d. 転換の仕組み

( )に基づくシリーズB優先株式の普通株式への転換を希望するシリーズB優先株式の各保有者は、転換を希望するシリーズB優先株式に係る適宜に裏書きされた株券を、当社又はシリーズB優先株式の名義書換代理人の事務所において引き渡し、当該事務所において、転換を希望する旨及び転換を希望するシリーズB優先株式の数を当社に対して書面にて通知します。その後、当社は、当該保有者が受領する権利を有する数の普通株式に係る株券を速やかに発行し、当該事務所において当該保有者に交付します。当社はまた、シリーズB優先株式の保有者に発行されるべき普通株式の端数株の価額を、（取締役会が定める転換日付の普通株式の公正市場価格により）現金で速やかに支払います。かかる転換は、転換されるシリーズB優先株式に係る株券が引き渡された日の営業終了時になされたものとみなされます。かかる転換により発行される普通株式を受領する権利を有する者は、転換されるシリーズB優先株式に係る株券を引き渡した日をもって、当該普通株式の名義保有者として取り扱われます。

e. 株式分割及び株式併合に係る調整

シリーズB優先株式の最初の株式が発行された日（以下「当初発行日」といいます。）以降（同日を含みます。）において、当社が発行済普通株式の分割を実施した場合、かかる分割の直前に有効であったシリーズB優先株式転換価格は比例して減額されます。逆に、当初発行日以降（同日を含みます。）において、当社が発行済普通株式をより少ない株式数に併合した場合、かかる併合の直前に有効であったシリーズB優先株式転換価格は比例して増額されます。 -e条に基づく調整は、分割又は併合の効力発生日の営業終了時をもって有効となります。

f. 普通株式配当及び分配に係る調整

当初発行日以降（同日を含みます。）において、当社が普通株式の保有者に対し、配当又はその他分配として普通株式を発行する場合、当該時点におけるシリーズB優先株式転換価格は、かかる発行と同時に、以下に定めるとおり減額されます。

(a)シリーズB優先株式転換価格は、その時点におけるシリーズB優先株式転換価格に、以下の分数を乗じることで調整されます。

かかる発行の直前における普通株式の発行済株式総数を分子とし、かかる発行の直前における普通株式の発行済株式総数に、かかる配当又は分配の支払により発行される普通株式数を足した数を分母とする数

(b)当社がかかる配当その他の分配を受領する普通株主を決定するために基準日を設ける場合、シリーズB優先株式転換価格は、かかる基準日の営業終了時点で決定され、普通株式数は、かかる基準日の営業終了の直前に計算されます。

(c)上記基準日が設けられたものの、設定された基準日にかかる配当又は分配が完全にはなされなかった場合、シリーズB優先株式転換価格は、当該基準日の営業終了時点で適宜再計算され、以後シリーズB優先株式転換価格はかかる配当又は分配の状況に応じて、( )-fに基づき調整されます。

#### g.再分類、交換、置換、組織再編又は合併による調整

当初発行日以降において、シリーズB優先株式の転換により発行される普通株式が、同数又は異なる数の別種類の株式に変更される場合(資本再構成、再分類、合併その他の事由のいずれによるかを問いません。但し、( )に定義する買収若しくは資産の譲渡又は( )に別途定める株式分割若しくは株式併合若しくは株式配当による場合を除きます。)、シリーズB優先株式の各保有者は、資本再構成、再分類、合併その他の変更の直前においてその保有する全てのシリーズB優先株式を普通株式に転換したと仮定した場合に普通株主として受領し得る種類及び数の株式その他の有価証券及び財産に転換する権利を有します。なお、これらは全てシリーズB優先株式の指定証書による更なる調整、又はかかるその他の有価証券若しくは財産に係る更なる調整の対象となります。また、いずれの場合においても、( )の規定(当該時点におけるシリーズB優先株式転換価格及びシリーズB優先株式の転換により発行される株式数の調整を含みます。)が当該事由発生後も適用され、できる限り権利内容が同等のものとなるようにするため、資本が再構成された後のシリーズB優先株式の保有者の権利に関する本( )の規定の適用において適切な調整が行われます。

#### h.調整に関する証明書

シリーズB優先株式の転換により発行される普通株式その他の有価証券の数に係るシリーズB優先株式転換価格の調整又は再調整が行われた場合、シリーズB優先株式が( )に基づき転換されるときは、当社は自己の費用負担により、シリーズB優先株式の指定証書の規定に従ってかかる調整額又は再調整額を計算し、かつ、請求に応じてかかる調整額又は再調整額を示した証明書を作成し、これを第1種郵便及び料金前払いにて、かかる請求を行った各シリーズB優先株式名義保有者に対し、当社の株主簿に示される当該保有者の住所宛てに郵送します。かかる証明書送付の請求又は証明書提供の不履行は、当該調整に何ら影響を与えません。

#### i.基準日の通知

(a)当社が配当その他の分配を受領し、又はその他の権利の付与を受けることができる保有者を決定するためにいずれかの種類の有価証券の保有者を記録する場合、又は(b)買収( ( )に定義します。 )その他の資本再編、当社の株式資本の再分類若しくは資本再構成、当社による他の会社との合併、資産の譲渡( ( )に定義します。 )、若しくは、清算若しくは解散(任意か否かを問いません。 )がなされる場合、当社は、シリーズB優先株式の各保有者に対し、(x)基準日が設けられる場合には基準日の10日以上前までに、(y)基準日が設けられない場合には、かかる手続が実施される日の10日以上前までに、次の(A)乃至(D)の各事項を郵送により通知します( (x)及び(y)のいずれについても、発行済シリーズB優先株式の過半数の保有者により、かかる通知の時期を短縮することができます。 )。

(A)かかる配当又は分配を受ける保有者を記録する日、及びかかる配当又は分配に関する説明

(B)かかる買収、組織再編、再分類、譲渡、合併、資産の譲渡、解散又は清算の効力発生予定日

(C)普通株式その他の有価証券の名義人がその保有する普通株式その他の有価証券をかかると買収、組織再編、再分類、譲渡、合併、資産の譲渡、解散又は清算により交付される有価証券その他の財産と交換することができる日(もしあれば)

(D)買収又は資産の譲渡の場合、(i)保有するシリーズB優先株式は普通株式に転換権は行使されず、(ii)全シリーズA優先株式及び全シリーズB優先株式が普通株式に転換されることを前提として、シリーズB優先株式一株につき保有者が購入者から受領する対価又は当社から保有者に分配される対価の(当社役員による署名付きの)通知

#### j.端数株

シリーズB優先株式の転換に際し、普通株式の端数株は発行されません。転換により端数株が生じるか否かは、シリーズB優先株式の保有者による一株以上の転換に際して発行される普通株式(端数株を含みます。)の総数に基づき決定されます。かかる総数により、転換によって端数株が生じることとなった場合、当社は、端数株の発行の代わりに、かかる端数に転換日における普通株式一株当たりの公正市場価格(取締役会がこれを決定します。)を乗じた金額に相当する現金調整額を支払います。

#### k.転換により発行可能な株式の留保

当社は、シリーズB優先株式の転換を実行することのみを目的として、その授権済未発行普通株式のうち、全発行済シリーズB優先株式の転換を実行するのに十分な数の普通株式数を随時留保し、利用可能とします。授権済未発行普通株式数が全発行済シリーズB優先株式の転換に不足する場合、当社は、授権済未発行普通株式をかかるとする目的に十分とされる株式数まで増加させるために必要な措置を講じます。

l. 通知

( )に基づく通知は、書面にて行われ、(a)通知を受ける当事者へ手交された時点、(b)電子メール若しくはファクシミリにて、通常営業時間内に送信される場合は送信された時点、及び通常営業時間外に送信される場合は翌営業日、(c)書留郵便若しくは配達証明付郵便にて受領通知付き及び料金前払いで送付される場合は5日後、又は(d)全国的に認識された翌日配達便にて翌日配達を指定し、受領証明付きで送付される場合は投函日の翌日に有効に送達されたものとみなされます。通知は全て、各名義保有者に対し、当社の株主簿に記載された当該保有者の住所宛てに行われます。

m. 納税

当社は、シリーズB優先株式の転換に際して発行又は交付される普通株式に関して政府によって課せられるあらゆる税金(所得に係る税を除きます。)その他の費用を支払います(但し、転換されるシリーズB優先株式の登録上の名義と異なる名義による普通株式の発行及び交付に係る譲渡に関して課せられる税金その他の費用を除きます。)

( )償還請求権

シリーズB優先株式は、償還不能です。

(2) 行使価額修正条項付新株予約権付社債券等の行使状況等

該当事項はありません。

(3) 発行済株式総数及び資本金の推移

普通株式

年月日	発行済株式総数増減数	発行済株式総数残高	資本金増減額	資本金残高
2014年6月30日		24,146,419株		24,146.42米ドル (2,854,831.24円)
2014年7月1日 ~2014年9月30日 (注)	30,898株	24,177,317株	30.9米ドル (3,653.30円)	24,177.32米ドル (2,858,484.54円)

(注) 当社は、オプションの行使に対して、普通株式15,000株を、また、従業員株式購入プランの実施に伴い、普通株式15,898株を、それぞれ発行いたしました。

シリーズA優先株式（注）

年月日	発行済株式総数増減数	発行済株式総数残高	資本金増減額	資本金残高
2014年7月1日 ～9月30日		0株		0.00米ドル (0.00円)

（注）当社は転換型優先株式であるシリーズA優先株式を発行しておりましたが、新規株式公開に伴い、2005年2月4日時点で権利未行使であったシリーズA優先株式は自動的に普通株式へと転換されました。

シリーズB優先株式

年月日	発行済株式総数増減数	発行済株式総数残高	資本金増減額	資本金残高
2014年6月30日		220,000株		2,200.00米ドル (260,106.00円)
2014年7月1日 ～9月30日	0株	220,000株	0.00米ドル (0.00円)	2,200.00米ドル (260,106.00円)

（注）新規株式公開に伴い、2005年2月4日時点で権利未行使であったシリーズB優先株式は自動的に普通株式へと転換されました。

シリーズC優先株式（注）

年月日	発行済株式総数増減数	発行済株式総数残高	資本金増減額	資本金残高
2014年7月1日 ～9月30日		0株		0.00米ドル (0.00円)

（注）当社は転換型優先株式であるシリーズC優先株式を発行しておりましたが、新規株式公開に伴い、2005年2月4日時点で権利未行使であったシリーズC優先株式は自動的に普通株式へと転換されました。

オプションの残高、行使価格等につきましては、第1「本国における法制等の概要」1「会社制度等の概要」(2)「提出会社の定款等に規定する制度」中の「オプション」の項をご参照ください。

また、アヴィジェンとの合併の対価として、当社は29,445,824.82米ドルの転換社債を発行しましたが、2011年6月18日付での転換社債の失効に伴い、未転換の転換社債の元本の全額が償還されました。

(4)大株主の状況

当四半期会計期間は第3四半期会計期間であるため、記載事項はありません。

## 2【役員の状況】

前事業年度に係る有価証券報告書の提出日（2014年6月10日）後、当四半期累計期間において役員に異動はありませんでした。

## 第5【経理の状況】

a 本書記載のメディシノバ・インク及び連結子会社(以下「当社」という。)の邦文の四半期連結財務書類は、米国における諸法令及び一般に公正妥当と認められる会計原則に準拠して作成された原文の四半期連結財務書類(以下「原文の四半期連結財務書類」という。)を翻訳したものであります。以下に記載されている当社の四半期連結財務書類は、2014年度第3四半期の報告書様式10-Qに記載された連結財務書類を邦文に翻訳したものであります。当社の四半期連結財務書類の日本における開示については、「四半期財務諸表等の用語、様式及び作成方法に関する規則」(昭和19年内閣府令 第63号)第85条第1項の規定を適用しております。

なお、日本と米国との会計処理の原則及び手続並びに表示方法の主要な差異については、第5の「3 日本と米国との会計原則の相違」に記載しております。

b 原文の四半期連結財務書類は、独立登録会計事務所の四半期レビューを受けておりません。

c 邦文の四半期連結財務書類には、原文の四半期連結財務書類中の米ドル表示の金額のうち主要なものについて円換算額を併記しております。日本円への換算には、2014年11月28日現在の株式会社三菱東京UFJ銀行の対顧客電信直物売買相場の仲値、1米ドル = 118.23円の為替レートを使用しております。なお、円表示額は、単に便宜上の表示のためのものであり、米ドル額が上記のレートで円に交換されることを意味するものではありません。

d 日本円及び第5の2及び3の事項は原文の四半期連結財務書類には記載されておりません。



1【四半期連結財務書類】

(1) 四半期連結貸借対照表(無監査)

	2014年9月30日現在	2013年12月31日現在
区分	米ドル	米ドル
(資産)		
流動資産		
現金及び現金同等物	11,936,900	6,700,493
未収債権	—	6,008,553
前払費用及びその他の流動資産	693,979	1,673,560
流動資産合計	12,630,879	14,382,606
のれん	9,600,241	9,600,241
仕掛研究開発費 (IPR&D)	4,800,000	4,800,000
JV投資	690,328	680,982
有形固定資産 (純額)	55,159	82,414
保証金	10,699	—
資産合計	27,787,306 (3,285,293千円)	29,546,243 (3,493,252千円)
(負債及び株主資本)		
流動負債		
支払債務	317,692	33,894
未払費用	271,643	240,148
未払給与及び関連費用	545,455	186,393
流動負債合計	1,134,790	460,435
長期繰延賃料	17,696	9,889
繰延税金負債	1,956,000	1,956,000
長期繰延収益	1,694,163	1,694,163
負債合計	4,802,649 (567,817千円)	4,120,487 (487,165千円)

注記参照

	2014年9月30日現在	2013年12月31日現在
区分	米ドル	米ドル
株主資本		
優先株式 額面0.01米ドル		
授權株式数		
2014年9月30日現在		
3,000,000株		
2013年12月31日現在		
3,000,000株	2,200	2,200
発行済株式数		
2014年9月30日現在		
220,000株		
2013年12月31日現在		
220,000株		
普通株式 額面0.001米ドル		
授權株式数		
2014年9月30日現在		
100,000,000株		
2013年12月31日現在		
100,000,000株	24,178	22,495
自己株式控除前発行済株式数		
2014年9月30日現在		
24,177,317株		
2013年12月31日現在		
22,495,443株		
自己株式控除後発行済株式数		
2014年9月30日現在		
24,177,317株		
2013年12月31日現在		
22,495,443株		
払込剰余金	331,243,773	326,868,578
その他の包括損失累計額	(84,306)	(80,803)
累積欠損	(308,201,188)	(301,386,714)
株主資本合計	22,984,657	25,425,756
	(2,717,476千円)	(3,006,087千円)
負債及び株主資本合計	27,787,306	29,546,243
	(3,285,293千円)	(3,493,252千円)

注記参照

(2) 四半期連結損益及び包括利益計算書（無監査）

< 第3四半期連結累計期間 >

	2014年9月30日を以って 終了した9ヶ月間	2013年9月30日を以って 終了した9ヶ月間
区分	米ドル	米ドル
営業収益		3,257
営業費用		
研究開発及びパテント費	2,476,797	2,427,650
一般管理費	4,363,237	5,023,445
営業費用合計	6,840,034	7,451,095
営業損失	(6,840,034)	(7,447,838)
その他の費用		(5,920)
支払利息	(477)	
その他の収益	30,599	14,315
税引前四半期純損失	(6,809,912)	(7,439,443)
法人所得税	(4,562)	(2,350)
普通株主に帰属する四半期純損失	(6,814,474)	(7,441,793)
	( 805,675千円)	( 879,843千円)
基本及び希薄化後一株当たり 純損失	(0.28)	(0.37)
	( 33円)	( 44円)
基本及び希薄化後一株 当たり純損失の計算に 使用した株式数	23,997,920株	20,114,289株
普通株主に帰属する 四半期純損失	(6,814,474)	(7,441,793)
その他の包括損失（税引後） 為替換算調整勘定	(3,503)	(9,881)
四半期包括損失	(6,817,977)	(7,451,674)
	( 806,089千円)	( 881,011千円)

注記参照

< 第3四半期連結会計期間 >

	2014年9月30日を以って 終了した3ヶ月間	2013年9月30日を以って 終了した3ヶ月間
区分	米ドル	米ドル
営業収益		
営業費用		
研究開発及びパテント費	893,265	785,573
一般管理費	1,451,994	1,456,774
営業費用合計	2,345,259	2,242,347
営業損失	(2,345,259)	(2,242,347)
その他の費用	(2,414)	(395)
支払利息	(173)	
その他の収益	9,077	7,798
税引前四半期純損失	(2,338,769)	(2,234,944)
法人所得税	(1,472)	(1,806)
普通株主に帰属する四半期純損失	(2,340,241)	(2,236,750)
	( 276,687千円)	( 264,451千円)
基本及び希薄化後一株当たり 純損失	(0.10)	(0.10)
	( 12円)	( 12円)
基本及び希薄化後一株 当たり純損失の計算に 使用した株式数	24,149,680株	22,301,773株
普通株主に帰属する 四半期純損失	(2,340,241)	(2,236,750)
その他の包括損失 (税引後)		
為替換算調整勘定	(6,969)	756
四半期包括損失	(2,347,210)	(2,235,994)
	( 277,511千円)	( 264,362千円)

注記参照

(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書 (無監査)

	2014年9月30日を以って 終了した9ヶ月間	2013年9月30日を以って 終了した9ヶ月間
区分	米ドル	米ドル
営業活動：		
四半期純損失	(6,814,474)	(7,441,793)
営業活動による キャッシュ・フローへの調整：		
非現金の株式に基づく報酬費用	984,095	719,084
キッセイ薬品から受領した 金額のうち収益認識した金額		(3,257)
減価償却費及び償却費	30,465	90,966
持分法による投資損(益)	(9,346)	
固定資産売却損(益)		(4,800)
営業資産及び負債の変動：		
前払費用及びその他の資産	965,759	(30,635)
支払債務、未払費用及び繰延賃料	325,185	(166,345)
未払給与及び関連費用	359,062	211,962
未収債権	6,008,553	
営業活動による キャッシュ・フロー	1,849,299 (218,643千円)	(6,624,818) ( 783,252千円)
投資活動：		
有形固定資産の取得	(3,523)	(29,314)
有形固定資産の売却収入		4,800
投資活動による キャッシュ・フロー	(3,523) ( 417千円)	(24,514) ( 2,898千円)

	2014年9月30日を以って 終了した9ヶ月間	2013年9月30日を以って 終了した9ヶ月間
区分	米ドル	米ドル
財務活動：		
普通株式及びワラント発行 による収入(発行費用控除後)	3,332,327	13,292,954
ESPPに係る普通株式発行による収入 (発行費用控除後)	60,456	6,697
財務活動による キャッシュ・フロー	3,392,783 (401,129千円)	13,299,651 (1,572,418千円)
現金に係る換算差額	(2,152)	
現金及び現金同等物の増減額	5,236,407	6,650,319
現金及び現金同等物の 期首残高	6,700,493	4,010,530
現金及び現金同等物の 四半期末残高	11,936,900	10,660,849
キャッシュ・フローに係る 追加情報：		
法人所得税支払額	5,562	6,354

注記参照

## (4) 四半期連結財務書類に対する注記（無監査）

### 1 四半期財務情報

#### 組織と事業

当社は、2000年9月にデラウェアに設立され現在は公開企業です。当社の株式は米国及び日本で上場され、ナスダック・グローバル市場及び東京証券取引所のジャスダック市場において売買されています。当社は、米国市場に商業的な重点を置き、医療ニーズが満たされていない重篤な疾病治療を対象とした新規の治療法の獲得及び開発に特化したバイオ医薬品会社です。当社は現在、進行型多発性硬化症（MS）、筋萎縮性側索硬化症（ALS）及びメタンフェタミン（覚醒剤）やオピオイド（麻薬）を始めとする薬物依存症などの神経系疾患治療を適応とするMN-166（イブジラスト）、並びに非アルコール性脂肪性肝炎（NASH）や特発性肺線維症（IPF）をはじめとする線維症の治療を適応とするMN-001（ティベルカスト）の開発に注力しています。メディシノバのパイプラインには、この他にも気管支喘息急性発作の治療を適応とするMN-221（ペドラドリン）及び固形癌の治療を適応とするMN-029（デニブリン）が含まれます。

#### 開示の基本方針

当社は米国において期中財務情報のための一般に公正妥当と認められる会計原則（GAAP）及びForm 10-Qに対する米国証券取引委員会（SEC）の指示書並びにRegulation S-XのRule 10-01に準拠して、添付した連結財務書類（無監査）を作成しております。したがって当財務書類には、GAAPにおいて完全な財務書類に求められている情報及び開示項目のすべてが含まれているわけではありません。経営者は、表示された期中会計期間について財政状態、経営成績及びキャッシュ・フローの状況を適正に表示するために必要な、通常かつ経常的取引に対する全ての会計上の調整がなされているものと考えています。添付の連結財務書類（無監査）には、当社及びその完全子会社の財務書類を含んでおります。

これらの財務書類はSECに提出した当社の2013年12月31日終了事業年度の報告書様式10-K上の年次報告書に含まれる監査済連結財務書類及び開示事項と合わせて読まれるべきものです。この報告書上の期中会計期間の経営成績は必ずしもその他の期中会計期間又は事業年度全体の成績を示唆するものではありません。2013年12月31日現在の貸借対照表は同日現在の監査済財務書類を基に作成されたものですが、GAAPにおいて完全な財務書類に求められているすべての情報及び開示項目が含まれているわけではありません。

#### 研究開発及びパテント費

研究開発費は発生した期間に費用計上され、主に従業員の給料その他の人件費、設備及び減価償却費、研究開発用の部材費、ライセンス費用及び外注業者への業務委託料などが含まれます。2014年及び2013年9月30日に終了した3か月間における研究開発費の総額はそれぞれ0.8百万米ドル及び0.6百万米ドルでした。また2014年及び2013年9月30日に終了した9か月間における研究開発費の総額はそれぞれ2.2百万米ドル及び2.0百万米ドルでした。

特許の出願および取得手続きを遂行するための費用は回収可能性が不確実であるため、発生時に全額費用処理しています。当社は、開発に関する特許出願に要した全ての外部費用を研究開発及びパテント費に含めています。2014年及び2013年9月30日に終了した3か月間における特許関連費用の総額はそれぞれ0.1百万米ドル及び0.2百万米ドルでした。また2014年及び2013年9月30日に終了した9か月間における特許関連費用の総額はそれぞれ0.3百万米ドル及び0.4百万米ドルでした。

#### 見積りの使用

GAAPに準拠した連結財務書類を作成するために、経営者は、財務書類及び注記における報告金額に影響を与えるような見積り及び仮定を行わなければなりません。実際の結果がこうした見積りと相違することもあり得ます。

#### 新会計基準の公表

2014年5月に、米国財務会計基準審議会（以下「FASB」）と国際会計基準審議会（以下「IASB」）は共同で、会計基準アップデート（以下「ASU」）No. 2014-09「顧客との契約から生じる収益」を公表しました。これに伴い、ASC トピック605「収益認識」における収益認識要件が廃止されます。ASU2014-09は、包括的な性質を持つ新たな収益認識基準であり、US GAAPおよびIFRSに基づく収益認識に関する現行基準のほぼ全てが本基準に置き換わります。本基準の基本原則に従えば、企業は、約束した財貨またはサービスを顧客に移転した時点において、当該財貨またはサービスと引き換えに権利を得ると見込まれる対価を反映した金額で、収益を計上することになります。本基準の適用にあたっては、現行基準に比べてより多くの判断及び見積りが必要となるものと予想されます。これらの判断及び見積りには、契約における履行義務の識別、取引価格に含むべき変動対価の見積り及び取引価格の各履行義務への配分などがあります。本基準は、公開企業については、2016年12月16日以降に開始する連結会計年度及び期中会計期間より適用開始となります。なおUS GAAPにおいては、早期適用は認められていません。本基準の適用は、当社に重要な影響を与える見込みはないものと予想しています。

2013年7月に、FASBは、未認識税務ベネフィットの財務諸表上の表示に関する新たなASUとして、ASU2013-11「法人税」（ASC トピック740）「繰越欠損金、類似した税務上の欠損金又は繰越税額控除が存在する場合の未認識税務ベネフィットの表示」を公表しました。本基準によれば、不確実な税務ポジションが否認されることで未認識税務ベネフィットが発生し、かつこれを繰越欠損金、類似した税務上の欠損金又は繰越税額控除に関する繰延税金資産と相殺することが要求または予想される場合には、当該未認識税務ベネフィットに係る負債を当該繰延税金資産からの控除項目として表示しなければなりません。本基準は、当社においては2014年1月1日より適用開始されており、適用開始日において存在する未認識税務ベネフィットに対しては、将来に向かって本基準を適用する必要があります。なお遡及適用も認められています。本基準の適用は、当社に重要な影響を与えるものではありませんでした。

### 2 収益認識

#### 収益の計上基準

収益はマイルストーン・ペイメントと研究開発に係る役務によって構成されています。マイルストーン・ペイメントは事前に定められた科学的事象が達成されたときに収益計上されますが、その達成には相応の取り組みが求められるため、契約開始時においてマイルストーンが達成される保証はありません。マイルストーン・ペイメントが第三者による履行を唯一の条件としていることでマイルストーン法による会計処理の要件を満たすことができない場合、当該マイルストーン・ペイメントは、偶発収益として会計処理されます。一方、研究開発に係る役務は、当該役務の提供期間にわたる治験研究費の発生に応じて収益計上されます。その他のすべての収益は、次の4つの要件が全て満たされたときに計上しています。

- (1) 取引の存在を証明する説得力のある証拠が存在すること
- (2) 財貨及び/又はサービスが提供されていること
- (3) 販売価格が確定しているか確定可能であること
- (4) 回収が合理的に保証されていること

#### ジェンザイム社

2005年12月にアヴィジェン社とジェンザイム社は契約（以下、「ジェンザイム契約」）を締結しました。ジェンザイム契約によって、ジェンザイム社はアヴィジェン社から遺伝子治療の知的財産、開発プログラム及びその他の関連資産を当初12.0百万米ドルで取得すること、さらにアヴィジェン社が開発した技術をジェンザイム社が利用して製品開発に成功した場合、アヴィジェン社は追加でマイルストーン・ペイメント、サブライセンス・フィー及びロイヤリティ収入を得ることが取り決められました。その後2009年12月にアヴィジェン社は当社に買収され、ジェンザイム社との契約による権利義務も承継されました。もしジェンザイム社が、供与された技術による製品の商品化やマーケティングに積極的に取り組まない場合には、ジェンザイム契約の規定に従い、同社に供与された権利の一部が将来当社のもとに戻る可能性があります。

ジェンザイム社に製品開発の責任があり、そして当社は実質的なサービス提供努力を要請することもないため、ジェンザイム契約による開発マイルストーンは、マイルストーン・ペイメントの収益認識に関して基準書が定める実質的なマイルストーン義務の定義を満たしません。一方で、将来において当社が履行すべき義務は存在しないことから、当社はジェンザイム契約における非実質的なマイルストーンが達成されたものと判断し、6.0百万米ドルのライセンス収益と未収債権を2013年度中に計上しました。この未収債権は2014年1月に回収されています。

#### キッセイ薬品

2011年10月、当社は、2.5百万米ドルの払戻不要な前払い一時金を対価として、キッセイ薬品との間でMN-221に関連して研究開発を実施する契約を締結いたしました。本契約の条項に従い、当社は、これらの治験の実施に関連して生じる一切の費用を負担します。これらの研究開発のうち一部は2013年及び2012年度中に完了しており、残りの部分は将来実施及び完了することが予想されます。当社は、本研究開発に係る諸成果物を基準書に従って評価した結果、研究開発役務という一つの成果物が存在するものとして結論付けました。以上の状況を踏まえ、本件の収益計上については、治験の実施に応じて行っています。またキッセイ薬品から受領した一時金から収益計上額を控除した金額は、貸借対照表上で長期繰延収益として計上されており、今後は残りの治験の実施にしたがって収益が計上されていきます。2014年及び2013年9月30日に終了した9か月間に当社が計上した収益は、それぞれゼロ及び3,257米ドルでした。なお2014年及び2013年9月30日に終了した3か月間においては、収益は計上されていません。



### 3. 公正価値の測定

公正価値とは、市場参加者間の秩序ある取引において、資産を売却するために受け取るであろう価格又は負債を移転するために支払うであろう価格、すなわち出口価格を指します。従って公正価値は、市場参加者が資産又は負債の価格付けを行う際に用いるであろう仮定に基づいて決定される市場を基礎とした測定値です。このような仮定を考慮する基礎として、公正価値ヒエラルキーを下記の3つのレベルに分類することにより、公正価値を測定する際に用いるインプットの優先順位づけを行っています。

- レベル1: 活発な市場における相場価格のような観察可能なインプット
- レベル2: 活発な市場における類似の資産・負債の相場価格、或いは測定日付近では活発でない市場における同一又は類似の資産・負債の相場価格によるインプット
- レベル3: 市場データが皆無あるいはほとんどないため観察可能でないインプットであり、報告企業による独自の仮定が要求される。

マネー・マーケット・アカウントを含む現金及び現金同等物の2014年9月30日及び2013年12月31日現在の残高11.9百万米ドル及び6.7百万米ドルは、公正価値により測定されており、レベル1に分類されます。

### 4. 合併事業

当社は、2011年9月27日を発効日として、浙江医[?]股份有限公司Zhejiang Medicine Co., Ltd.と北京美福[?]医[?]科技有限公司Beijing Medfron Medical Technology Co., Ltd. (旧Beijing Make-Friend Medicine Technology Co., Ltd.) の間で、合併会社を設立する契約を締結いたしました。本合併契約により合併会社Zhejiang Sunmy Bio-Medical Co., Ltd. (以下、「Zhejiang Sunmy」または「JV会社」) は中国においてMN-221の開発及び商品化並びに更なる化合物の開発を行うこととなります。当社がMN-221のライセンスをZhejiang Sunmyに供与するためには、サブライセンス契約が必要となります。当報告書日現在、そのようなサブライセンス契約は締結されていません。本合併契約に基づき、2012年3月に当社はZhejiang Sunmyの持分30%相当の対価として680,000米ドルを支払いました。本合併契約における当社以外の当事者は、Zhejiang Sunmyの持分の70%相当の資金を提供しました。2013年12月にJV会社の取締役会は、中華人民共和国政府による承認を条件として、浙江医[?]股份有限公司Zhejiang Medicine Co., Ltd.が本合併契約から離脱することを認める契約改定につき合意しました。2014年8月、中国政府は、浙江医[?]股份有限公司Zhejiang Medicine Co., Ltd.の離脱を認める本合併契約の改定を承認しました。2014年9月30日現在、北京美福[?]医[?]科技有限公司Beijing Medfron Medical Technology Co., Ltd.とメディシノバ社のJV会社に対する持分はそれぞれ50%であり、この2社のいずれからも追加出資は行われていません。

Zhejiang Sunmyは変動持分事業体の会社ですが、当社はその主たる受益者には該当しません。なぜならば、当社はZhejiang Sunmyの取締役会において過半数を占めておらず、同社の行為を指図する又は重要な影響力を及ぼす権限を有していないからです。当社はZhejiang Sunmyが計上する損益を、当社に対する持分割合に応じて当社の連結財務書類に取り込む持分法によって会計処理しています。2014年9月30日現在、当社はZhejiang Sunmyに対する投資を、損益の持分割合相当額を加減して、連結貸借対照表の長期性資産として計上しています。

### 5. 株式に基づく報酬

#### 株式インセンティブ・プラン

2013年6月に当社は、2013年株式インセンティブ・プラン (以下、「2013年プラン」) を設けました。このプランの下では、当社又は子会社のその時点における従業員、役員、非従業員取締役又はコンサルタントである個人に対して、ストック・オプション、株式増価受益権、制限付株式、制限付株式ユニット(RSU)およびその他の報奨を付与することができます。2013年プランは当社の修正後2004年株式インセンティブ・プラン (2004年プラン) の後継プランであり、2004年プランは当社の2000年一般株式インセンティブ・プラン (2000年プラン) の後継プランです (これら2つのプランを合わせて、「先行プラン」と呼びます)。2013年プランに基づく発行のために当初留保された株式は合計で2,500,000株でしたが、これに加えて、随時利用可能となる「返還株式」も留保されました。「返還株式」とは、2004年プランにより付与されたものの行使又は決済前に失効又は契約終了した株式、権利確定に至らなかったため失効した株式、買い戻された株式、さらにはこうした報奨に伴う源泉徴収義務や購入価格義務を履行するために天引処理された株式を指します。当社は、先行プランの下での新たな報奨の付与は行いませんが、先行プランの下で付与され未だ行使されていないものについては、引き続き各先行プランで定められた行使条件等が適用されます。2014年9月30日現在、2,554,825個のオプションが、2013年プランに基づく将来の付与のために利用可能な状態にあります。

#### ストック・オプション

2013年プラン及び先行プランにより付与されたオプションは付与日より10年間有効であり、一般に付与日より3年ないし4年後に権利が確定します。

付与されたすべてのオプションの行使価格は付与日現在の当社普通株式の市場価格と一致しています。

2014年9月30日現在及び同日に終了した9か月間における当社のストック・オプションの増減及び関連情報の要約は以下のとおりです。

	株式数	加重平均 行使価格 (米ドル)	加重平均 契約期間 (年)	本源的 価値総額 (米ドル)
2013年12月31日現在未行使残高	3,217,043	5.06		
付与数	105,000	5.10		
行使数	(15,000)	2.59		
取消数	(49,074)	3.30		
2014年9月30日現在未行使残高	3,257,969	5.10	6.08	726,731
2014年9月30日現在行使可能残高	2,387,760	5.94	5.06	437,890

2014年9月30日に終了した3か月及び9か月間に15,000個のオプションが行使され、手取金の総額で38,850米ドルを受領しました。2014年9月30日に終了した9か月間に行使されたオプションの本源的価値は3,750米ドルでした。2013年9月30日に終了した3か月間に行使されたオプションはありませんでしたが、2013年9月30日に終了した9か月間には79,462個のオプションが行使され、手取金の総額で193,951米ドルを受領しました。2013年9月30日に終了した9か月間に行使されたオプションの本源的価値は63,704米ドルでした。

#### 従業員株式購入制度

当社の2007年度従業員株式購入制度（以下「ESPP」）の下で、当初普通株式300,000株が発行のため留保されていました。さらに、「15,000株」、「前会計年度の最終日現在の発行済普通株式数の1%」又は「取締役会により決議されたこれらより少ない金額に相当する株式数」のうち、最も少ない株式数が毎年自動的に加算されます。ESPPは常勤従業員に対し普通株式を、「申込期間の開始日における公正市場価格の85%」又は「各6ヶ月の申込期間の終了日における公正市場価格の85%」のいずれか低い方の価格にて、給与天引により購入することを認めております（ただし、各従業員の給与の15%を超えることはできません）。

2014年9月30日に終了した9か月間に、ESPPにより33,374株が発行された結果、将来の発行のために利用可能な株式は215,953株となりました。

#### 報酬費用

2014年9月30日に終了した3ヶ月及び9か月間に、それぞれ普通株式10,000株及び105,000株を購入できるオプションが付与されました。ストック・オプション及びESPPに関連する株式に基づく報酬費用は各事業年度の営業費用合計に含まれています。2014年及び2013年9月30日に終了した3か月間におけるストック・オプション及びESPPに関連する株式に基づく報酬費用はそれぞれ497,675米ドル及び197,797米ドルでした。2014年及び2013年9月30日に終了した9か月間におけるストック・オプション及びESPPに関連する株式に基づく報酬費用はそれぞれ984,095米ドル及び719,084米ドルでした。

当社は、株式に基づく従業員への報奨に関する見積り公正価値と株式報酬の算定にブラック＝ショールズ評価モデルを使用しています。以下の表は、2014年及び2013年9月30日に終了した3ヶ月及び9ヶ月間における、ブラック＝ショールズ評価モデルの前提条件を示しています。なお2014年及び2013年9月30日に終了した3ヶ月間には、ESPPによる付与はありませんでした。2014年及び2013年9月30日に終了した9ヶ月間に対するESPPの前提条件は加重平均額です。

	9月30日に終了した3か月		9月30日に終了した9か月	
	2014年	2013年	2014年	2013年
<b>ストック・オプション:</b>				
無リスク利率	1.7%	0.70%	0.36%	0.80%
普通株式の予想株価変動率	79.7%	85.76%	65.0%	86.10%
配当利回り	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%
予想期間 (年)	5.2	5.4	1.8	5.5
<b>ESPP:</b>				
無リスク利率	-	-	0.06%	0.18%
普通株式の予想株価変動率	-	-	67.6%	91.55%
配当利回り	-	-	0.0%	0.0%
予想期間 (年)	-	-	0.5	0.5

2014年9月30日現在、権利未確定のストック・オプション報奨に関連する未償却の報酬コストが1.0百万米ドルあり、これは加重平均の残存権利確定期間である0.81年にわたって定額法にて認識される見込みです。

## 6. 株主資本

### キッセイ薬品による株式引受

2011年10月に、当社とキッセイ薬品との間の新株引受契約に基づき、キッセイ薬品は、(i) 1株当たり額面価格0.001米ドルの普通株式800,000株を1株当たり2.50米ドルで、また、(ii) 1株当たり額面価格0.01米ドルのシリーズB優先株式(シリーズB転換優先株式) 220,000株を1株当たり25.00米ドルで、引き受けました。当社は、この新株引受契約に関連し2011年10月に、総額約7.5百万米ドルの手取金を受領しました。引受契約には、キッセイ薬品からの“Standstill”契約が含まれていますが、キッセイ薬品の当社に対する発行済議決権付株式の持株割合が3%未満の場合にはこの“Standstill”契約は終了します。シリーズB優先株式1株は普通株式10株に転換可能です。シリーズB優先株式は清算時の分配権については普通株式に転換されたものとして普通株式と同等の扱いを受けます。シリーズB優先株式には議決権がありませんが、会社の一定の行為については発行済シリーズB優先株式の所有者の過半数の同意が必要になります。

### 普通株式購入契約

2012年8月20日、当社はAspire社との間で普通株式購入契約を締結いたしました。同契約により、当社はAspire社に対して、当社普通株式を契約期間の2年間にわたり発行価格総額20百万米ドルを上限として売却し、Aspire社はこれを購入する義務を負っていました。なおこの20百万米ドルの中には、同契約の締結に伴ってAspire社が購入した普通株式1百万米ドルが含まれます。当社は、Aspire社との普通株式購入契約を2013年10月17日に解除しましたが、同日までに合計2,504,532株の普通株式を、1株当たり1.60米ドルから3.82米ドルでAspire社に売却し、総額で5.4百万米ドルの手取金を受領しました。

### ATM新株購入契約

当社は、2013年4月17日付けで、Macquarie Capital (USA) Inc. (MCUSA) との間でATM新株購入契約 (at-the-market equity distribution agreement) を締結しました。同契約により、当社はMCUSAを通じ、当社普通株式を発行価格総額6百万米ドルを上限として随時売却することが可能となりました。2013年7月25日現在で、当社はMCUSAとの間で締結した契約により売却可能となった株式の全部の売却を完了していますが、これにより、普通株式1,936,237株を1株当たり2.44米ドルから4.10米ドルで売却し、総額で6.0百万米ドル、純額で5.3百万米ドルの手取金を受領しました。

当社は、2013年10月16日付けで、MCUSAとの間で第2回ATM新株購入契約を締結しました。同契約により、当社はMCUSAを通じ、当社普通株式を発行価格総額10百万米ドルを上限として随時売却することができます。なお本契約の条件により、別途相互に合意した場合を別として、当社普通株式の一日当たりの売却額は、「50,000米ドル」又は「発行通知日に先立つ5日間若しくは3ヶ月間のNASDAQにおける当社普通株式の一日当たり平均出来高のうちいずれか低い方の10%」のうちいずれか低い方の価額を上回ることできません。ただし発行通知日に先立つ5日間又は3ヶ月間の東京証券取引所(TSE)のJASDAQにおける当社普通株式の一日当たり平均出来高のうちいずれか低い方の10%がこれを上回る場合には、NASDAQではなくTSEにおける価額が採用されます。また、1株当たりの価格は1.29米ドル又は直近の取引日のNASDAQにおける普通株式の終値のうちいずれか高い方の価格を下回ってはなりません。MCUSAは、当社普通株式を売却するために、同社が行っている通常の取引及び売却に関する慣行並びに適用法令及び規則に従って商取引上合理的な努力を払うことに合意し、また、法律に即しながら市場取引と見なされるあらゆる方法にて当該株式を売却します。当社は、MCUSAに対して手数料として、同契約に基づき売却された普通株式による手取金総額の7.0%を支払うことに合意しました。MCUSAは、同契約により株式を購入するいかなる義務も負わず、また、MCUSAが成功裡に株式を売却するという保証はありません。当社の手取金は、MCUSAに売却される当社普通株式の数及び各取引における1株当たりの購入価格に左右されます。MCUSAとの同契約では、MCUSAと当社の両方に、5営業日前までの書面通知により単独の裁量にて同契約を解除する権利が認められています。2014年9月30日に終了した9ヶ月間に、当社は同契約に基づき、1株当たり2.01米ドルから2.40米ドルで当社普通株式1,548,000株の売却を完了し、これにより総額で3.4百万米ドル、純額で3.0百万米ドルの手取金を受領しました。

### 新株購入契約

2013年5月9日に当社は、特定の適格投資家との間で新株購入契約(以下、「購入契約」)を締結いたしました。これにより当社は当社普通株式1,158,730株を1株につき3.15米ドルで売却すること、及び当社普通株式869,047株を1株につき3.15米ドルの行使価格で購入できるワラントを付与することに合意しました(以下、「私募発行」)。この私募発行は2013年5月14日に完了しました。なおワラントは2018年5月9日に失効しますが、現金支払いにより行使されるほか、もし行使時点における当社普通株式の市場価格が行使価格を上回っていれば、ワラントの一部を放棄することで現金支払いなしで行使することも可能です。この私募発行を通じた株式とワラントの売却により3.7百万米ドルが調達され、0.3百万米ドルの関連費用が発生しました。

一人の投資家が購入した当社普通株式158,730株及び普通株式119,047株を購入可能なワラントに関連して、新株の発行価格及びワラントの行使価格が1株につき3.38米ドルに修正され、2013年5月29日に当該投資家は株式及びワラントの対価として51,389米ドルを追加で払い込みました。

私募発行により売却された株式とワラントによる正味手取額3.4百万米ドルは、株式とワラントの公正価値の比率に基づいて配賦されました。当社は株式の公正価値を2013年5月9日の当社普通株式の終値に基づき算定するとともに、ワラントの公正価値をブラック＝ショールズ評価モデルに基づき算定しました。

#### 普通株式のワラント

当社は2011年に、総額8.25百万米ドルとなる、1ユニット当たり3.00米ドルの発行価格による2,800,666ユニットの確定約定済み引受公募について完了いたしました。各ユニットは、普通株式1株及び普通株式1株を購入するためのワラント1個で構成されております。普通株式とワラントは直ちに分離可能であり、個別に発行されました。ワラントは発行後直ちに行使可能であり、その行使期間は5年で、行使価格は1株当たり3.56米ドルです。

2014年9月30日に終了した9か月間に、これらのうち85,500個のワラントが行使され、総額で0.3百万米ドルの手取金を受領しました。2014年9月30日現在、2,593,500個のワラントが未行使かつ行使可能なまま残っています。

2012年8月に当社はIRサービスを受けるのと引き換えに、当社普通株式を当日の終値である1株当たり1.88米ドルで130,000株を上限に購入できるワラントを発行しました。2014年9月30日現在、ワラントで購入できた株式は15,000株で、それ以上の株式の権利は確定しません。ワラントは発行日から5年で失効します。

#### 7. 一株当たり純損失

当社は基本一株当たり純損失を、自己株式を除いた発行済普通株式の期中加重平均株式数で除して計算しております。希薄化後一株当たり純利益は、自己株式を除いた発行済普通株式及び潜在的に希薄化効果を有する証券（普通株式同等物）の期中加重平均株式数で除して計算しております。発行済普通株式同等物は自己株式方式によって決定され、ストック・オプション及びワラントは普通株式同等物とみなされます。普通株式同等物は、逆希薄化効果があるため希薄化後一株当たり純損失の計算から除外されます。

以下の潜在的に希薄化効果を有する証券は、逆希薄化効果があるため、希薄化後一株当たり純損失の計算から除外していません。

	(株)	
	9月30日現在	
	2014年	2013年
転換型優先株式(転換後)	2,200,000	2,200,000
ストック・オプション	3,257,969	2,904,137
ワラント	3,675,567	3,876,067
合計	9,133,536	8,980,204

#### 8. 関連当事者取引

2011年10月13日に、当社は、2011年10月に2.5百万米ドルの手取金を受領する見返りに、キッセイ薬品との間でMN-221に関連して2つの異なる試験を実施する契約を締結いたしました。当社は、これらの試験の実施に関連して生じる一切の費用を負担します。2014年9月30日現在の貸借対照表において、キッセイ薬品から受領した金額から2014年9月30日までに収益として計上した金額を控除した額が繰延収益として計上されており、残りの試験の実施に伴い将来にわたり収益が認識されていきます。

2013年5月9日に当社は特定の機関及び適格投資家と新株購入契約を締結いたしました。これにより当社は当社普通株式1,158,730株を発行するとともに、当社普通株式869,047株を取得できるワラントを付与することに合意しました(以下、「私募発行」)。この私募は2013年5月14日に完了しました。この私募による新株の発行先及びワラントの割当先にFountain Erika LLC (Fountain Erika) が含まれますが、これは当時、当社の取締役会のメンバーであった泉辰男氏が社長をつとめる企業です。ワラントは2013年5月29日に事後修正されました。Fountain Erikaへの新株発行及びワラントの付与は市場価格にて行われました。

#### 9. 後発事象

当社は添付の財務書類日後に発生した全ての後発事象を検証しました。この結果、当社が2014年9月30日後にMCUSAとの第2回ATM新株購入契約に基づき当社普通株式45,000株を売却し、手取金の総額及び純額で0.1百万米ドルを調達したことを除き、当社の後発事象の報告期間において、当社の連結財務書類に認識又は開示すべき事象又は取引はありませんでした。

## 2【その他】

該当事項はありません。

## 3【日本と米国との会計原則の相違】

当該四半期報告書に含まれる四半期連結財務書類は米国において一般に公正妥当と認められる期中財務情報の会計原則(米国会計基準)に準拠して作成されています。従って同四半期連結財務書類は、日本において一般に公正妥当と認められる会計原則(日本会計基準)に準拠して作成された四半期連結財務書類と比較して、会計原則、会計慣行及び表示方法が異なります。米国会計基準と日本会計基準の主な相違点は、当社の2013年度の有価証券報告書の「第6. 4. 日本と米国との会計原則の相違」に記載された相違点から重要な変更はありません。

## 第6【外国為替相場の推移】

米ドルと円の為替相場は日本国内において時事に関する事項を掲載する2紙以上の日刊新聞紙に当該四半期中において掲載されているため省略いたします。

## 第二部【提出会社の保証会社等の情報】

### 第1【保証会社情報】

該当事項はありません。

### 第2【保証会社以外の会社の情報】

該当事項はありません。

### 第3【指数等の情報】

該当事項はありません。