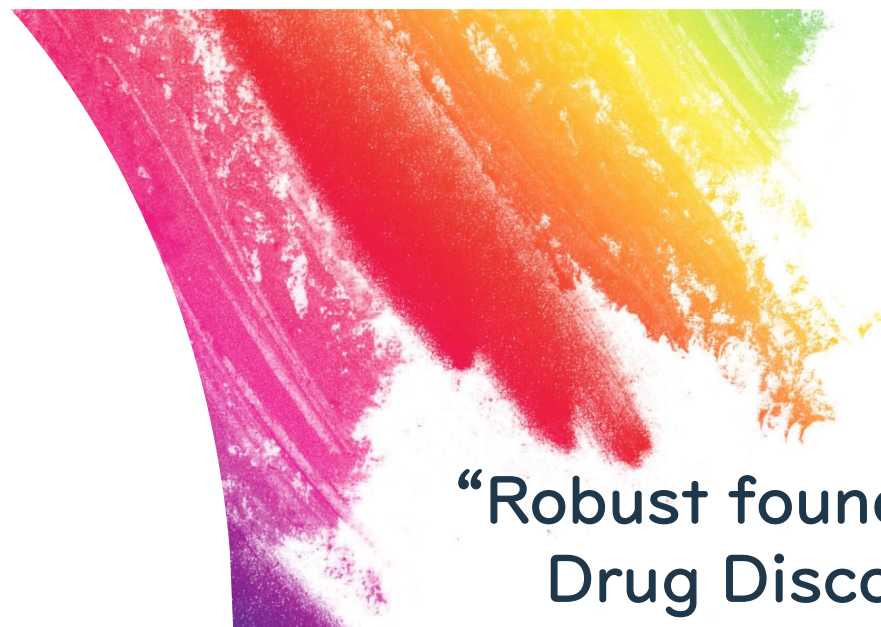


東証グロース
4571

2025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

2025年5月15日(木)



“Robust foundation for
Drug Discovery Concert”



Global leader for “mRNA for health”

NANO MRNA 1.0から2.0へ



事業進捗

代表取締役社長 秋永士朗

TUGI ASO（膠芽腫）

- 医師主導第I相治験（2024年2月開始）の推進
 - ・ 予定されている4段階の用量の第3段階まで順調に進捗
 - ・ 重篤な副作用は現時点まで報告なし
 - ・ 薬物動態および抗腫瘍効果についても検討中

RUNXI mRNA（変形性膝関節症）：子会社PrimRNAが推進

- 第I相治験の開始 ⇒ 医師主導治験（国内）から企業治験（オーストラリア）へ変更
 - ・ AMEDから変更の承認（2025年3月）
 - ・ オーストラリアにおける治験実施サイト、ベンダーなど選定済み
 - ・ 2025年6月ごろに治験開始申請（倫理委員会:HREC）を見込む

パイプラインの拡充

- 千寿製薬、花王との共同研究の進展
- mRNAの適応が見込まれるmRNAエンコード抗体、ゲノム編集、in vivo/ex vivo CAR-T療法などの新規モダリティをバイオベンチャー、アカデミアなどと推進

パイプライン



開発品目	疾患	シード	非臨床			臨床PI	パートナー
TUG I ASO	膠芽腫					DoseLevel3 (最大4)	名古屋大学 
RUNX I mRNA	変形性膝関節症					準備中 	東京科学大  CIRCLE
mRNA (眼科)	眼科疾患						SENJU
mRNA (免疫寛容)	免疫・アレルギー						KAO
mRNA (免疫寛容)	免疫・アレルギー						KAO
TUG I ASO successor	固形がん	新規					名古屋大学 
PRDM I 4 siRNA successor	固形がん	新規					金沢大学
Genome Edition mRNA	遺伝子転座を有するがん	新規					非開示

PRDM14 siRNA: 第I相臨床試験結果概要

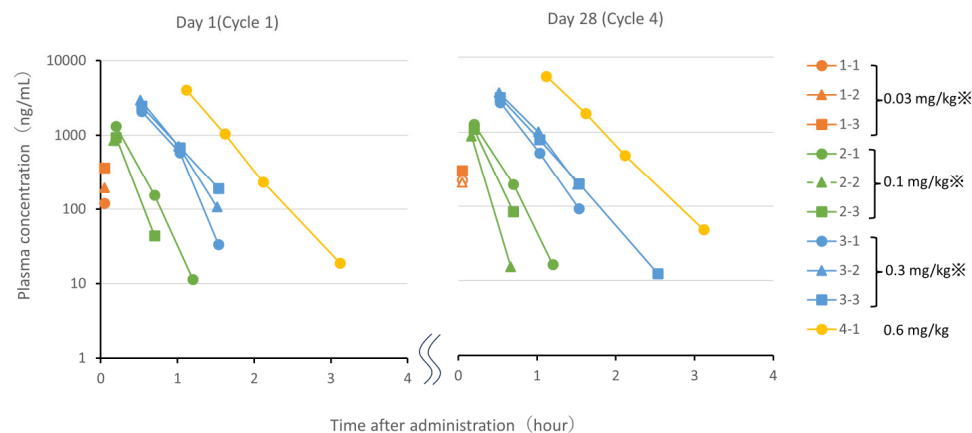


2024年6月: 第28回日本がん分子標的治療学会学術総会

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

乳がん患者に対するPRDM14を標的とした核酸医薬 医師主導第I相試験

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



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

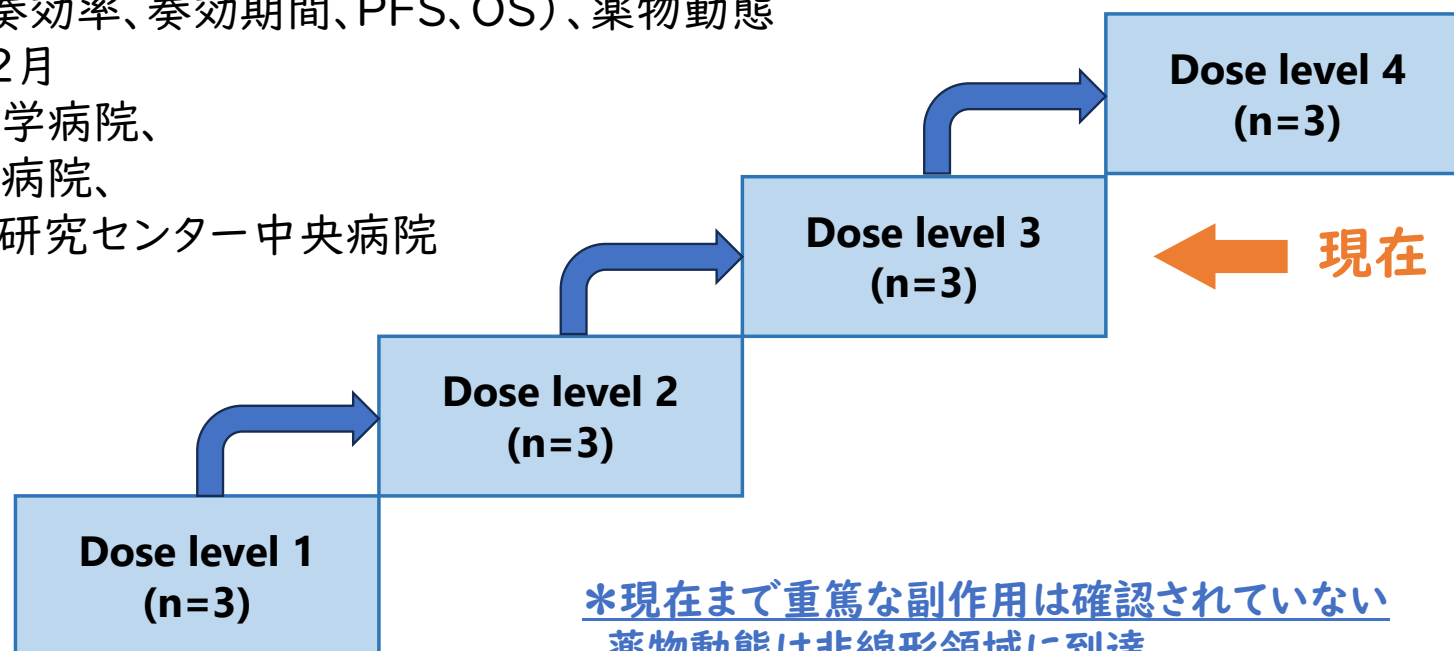
TUGI ASO: 第I相臨床試験概要



TUGI ASO: がん細胞の異常増殖に伴う複製ストレスを増大させることにより細胞死を誘導する
長鎖非翻訳RNA TUGIに対するアンチセンスオリゴ (ASO) のYBCポリマーによるDDS製剤

対象疾患: 再発膠芽腫

主要評価項目: 安全性、忍容性、最大耐量
副次評価項目: 有効性 (奏効率、奏効期間、PFS、OS)、薬物動態
開始: 2024年2月
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



■ 2025年から国際的なイベントにおいて、TUG I ASOおよびYBCポリマーの有用性を紹介

⇒ 医師主導第I相治験終了後の速やかな導出への布石

2月: TIDES ASIA 2025 (京都)

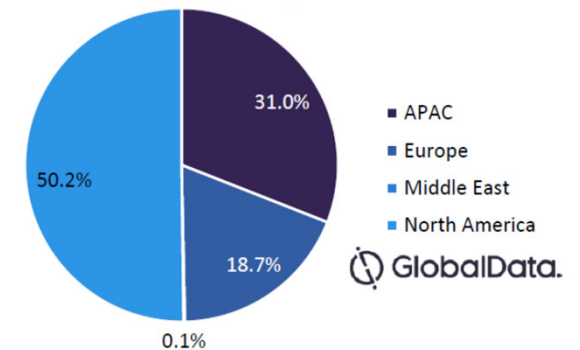
4月: The 4th China Nucleic Acid Drug and Neotype Vaccine Industrial Conference (上海)

6月: BIO International 2025 (ボストン): 予定

10月: RNA leaders APAC 2025 (シンガポール): 予定

国内では7月の核酸医薬学会臨床シンポジウムで発表

GBM治療薬の世界市場
2031年予測
32億ドル



RUNXI mRNA:国内治験からオーストラリア治験へ(PrimRNA)



RUNXI mRNA :軟骨の再生を促進する転写因子RUNXIをコードするmRNAのDDS製剤

対象疾患:変形性膝関節症

■ 第I相臨床試験開始におけ準備中

PMDA相談の長期化(CMCパートのみ)

⇒AMEDと国内医師主導治験からオーストラリアでの企業治験への変更を相談
AMEDから承認(2025年3月)

- オーストラリアにおける治験実施施設、CROなど選択済み
- 治験関連文書作成中

投与開始:今年度2Q見込む

第I相臨床試験計画概要

対象患者 :関節置換術を予定する変形性膝関節症患者

評価項目 :安全性

探索的評価 :変形性関節症関連遺伝子の発現などのバイオマーカー解析

試験デザイン:用量漸増試験(関節腔内投与)

RUNXI mRNA:変形性関節症治療薬の市場動向



推定市場規模

2024 : 91.3億ドル~ 99.1億ドル
2030-2034: 135.7億ドル~243.4億ドル
(年平均成長率: 6.18%~ 9.4% 推定期間の予測値)

成長を牽引する主な因子:

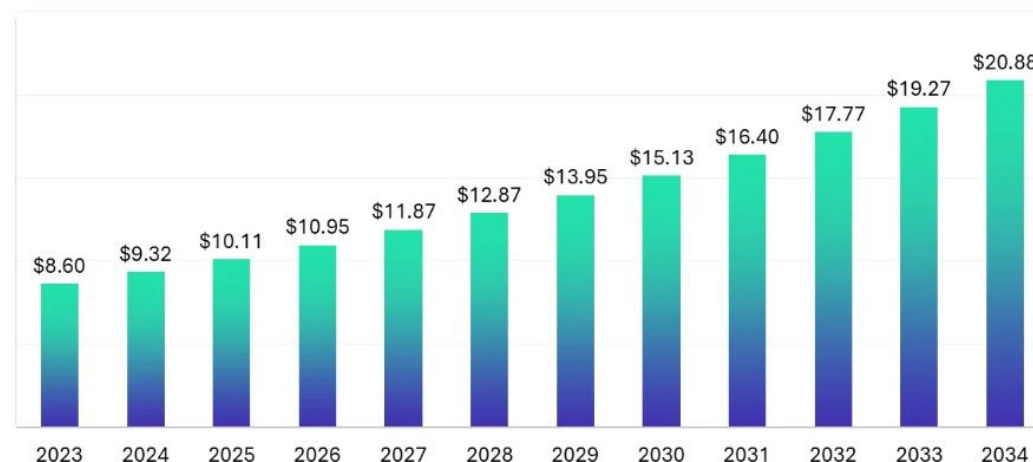
- 高齢化
- 肥満、生活スタイル
- OAに対する意識の向上
- 低侵襲治療技術などの技術の進歩
- 疾患修飾型OA治療薬の上市

各地域の動向:

- 北米: 肥満人口率が高く、政府の政策的な後押しもあるため、OA市場で最大のシェアを占める
- 欧州: 北米と同様に、高齢化および肥満人口の増加により、OA市場で大きなシェアを占める
- アジア・オセアニア: 生活スタイルの変化および高齢化による有病率の上昇、医療費の増加、OAに対する意識の高まりにより、最も市場の成長が著しいと予想される



Osteoarthritis Market Size 2023 to 2034 (USD Billion)



Source: <https://www.towardshealthcare.com>

Global leader for “mRNA for health”

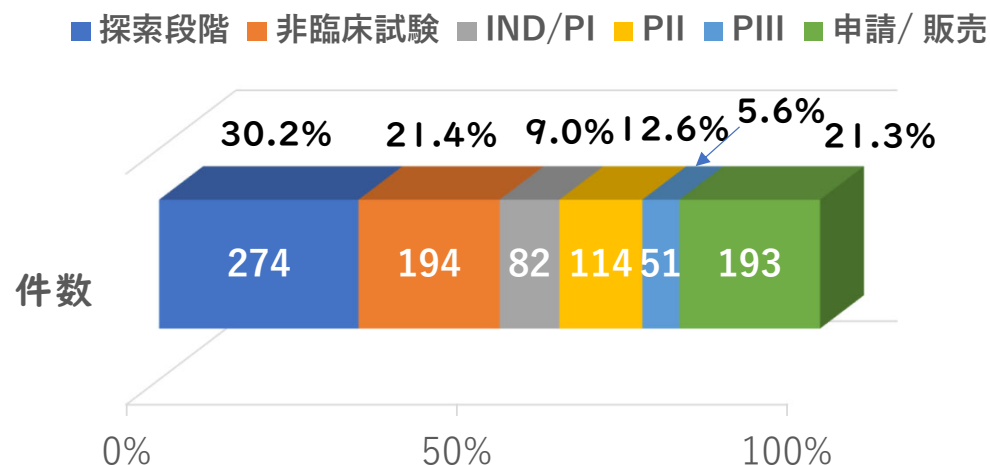


成長戦略およびビジネスモデル

2024年 製薬企業のDeal概要



ライセンス件数における
リードアセットの開発段階の件数と割合



主な契約51件のモダリティ内訳

低分子/ペプチド 22件
抗体 11件
ワクチン 3件
mRNA 3件
核酸 2件
蛋白質・酵素 2件
遺伝子治療 2件
放射性医薬 2件
遺伝子改変細胞療法 2件
不明・非開示 2件

ライセンス取得	ライセンス提供	一時金/総額(百万ドル)	ライセンス概要
GSK	Curevac	429/1,556	Covid-19/インフルエンザのmRNAワクチン
Epitopea	Genevant Science	124/非開示	LNP技術(RNAベースの免疫療法)
BMS	Repertoire Immune Medicines	65/1,865	自己免疫疾患のmRNAワクチン
Sarepta Therapeutics	Arrowhead Pharmaceuticals	825/1,075	PI/2 siRNA薬4つと前臨床3つ
Novartis Pharma	Shanghai Argo pharmaceuticals	185/4,350	PI/2とPI RNAi薬

RNA医薬品の急成長



■ 2023年から現在までに13剤のRNA医薬品(mRNA、siRNA、ASO、Aptamer)が承認

mRNA	:6剤	COVID-19 ワクチン5剤(日本、中国中心)、RSVワクチン1剤(欧米)
ASO	:4剤	中枢神経疾患2剤、代謝疾患1剤、 がん(MDS)1剤*
siRNA	:2剤	代謝疾患1剤、血友病1剤
Aptamer	:1剤	中枢神経(ALS)1剤

*世界初のRNA抗癌剤(Telomerase阻害剤)

■ 2025年1Qに注目されるRNA医薬候補が登場

新規DDSを用いたASO2剤

VP-001 CNOT3 網膜色素変性症(FDA RPD Designation)

DYNE-101 DMPK 筋強直性ジストロフィー1型(FDA Fast Track)

mRNA2剤(LNP)

IN-013 ATP7B mRNA Wilson disease(FDA RPD Designation)

AMO-101 CAS12i2 mRNA Genome edition 原発性高シュウ酸尿症1型(FDA RPD Designation)

新規標的siRNA1剤

CBP-4888 sFLT1 妊娠高血圧腎症(U.K. Innovative Licensing and Access Pathway)

RNA医薬品の課題 ▶ 生体内安定性、細胞への取り込み、生体内分布（組織選択性）

解決策

▶ デリバリー技術

- 脂質ナノ粒子（LNP）
- GalNAcコンジュゲート
- その他

なお、生体内安定性の向上には、修飾核酸技術も用いられる

例：

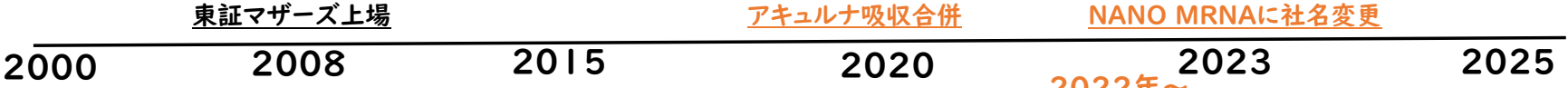
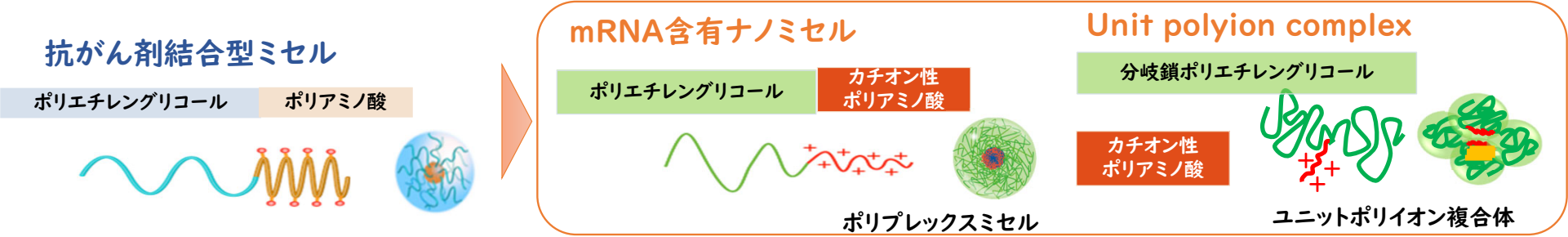
Onpattro (patisiran)	:LNP
Givlaari (givosiran)	:GalNAc conjugation (targeted liver delivery)
Wainua (eplontersen)	:GalNAc conjugation (targeted liver delivery)
Tryngolza (olezarsen)	:GalNAc conjugation (targeted liver delivery)
mRNA vaccines	:LNP

ナノキャリア/NANO MRNA のDDS技術の進化と核酸医薬へのシフト

1996年 技術発明者である片岡一則らとともに中富一郎がナノキャリア株式会社(現NANO MRNA)を設立



Dr. KATAOKA
東京大学名誉教授



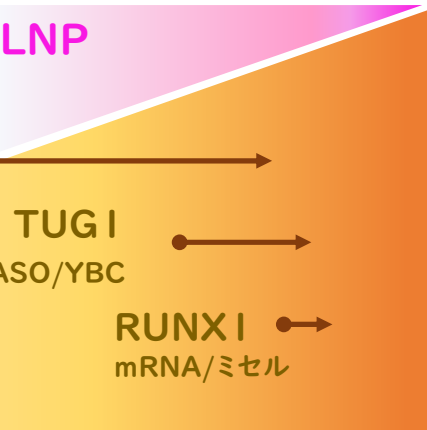
抗がん剤

- NK105 → 物理吸着型ミセル 抗体結合型ミセル
- NC-6004 → 化学結合型ミセル
- NC-4016 → 化学結合型ミセル
- NC-6300 → pH応答性ミセル

核酸医薬
NanoFect

アキュルナ設立
2017年~2020年
CEO 秋永士朗

- PRDM14 siRNA/YBC
- TUG1 ASO/YBC
- RUNX1 mRNA/ミセル



パイプラインの進捗をドライバーとした事業展開



➤ 核酸医薬/uPIC (Unit polyion complex)



■ PRDM14 siRNA、TUG1 ASOの臨床試験

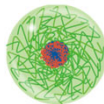
PRDM14 siRNA、TUG1 ASO、およびYBC-polymer/uPICの有用性の実証

■ 核酸医薬を取り巻く環境

承認数の増加、臨床開発の進展による研究開発および投資活動の活性化

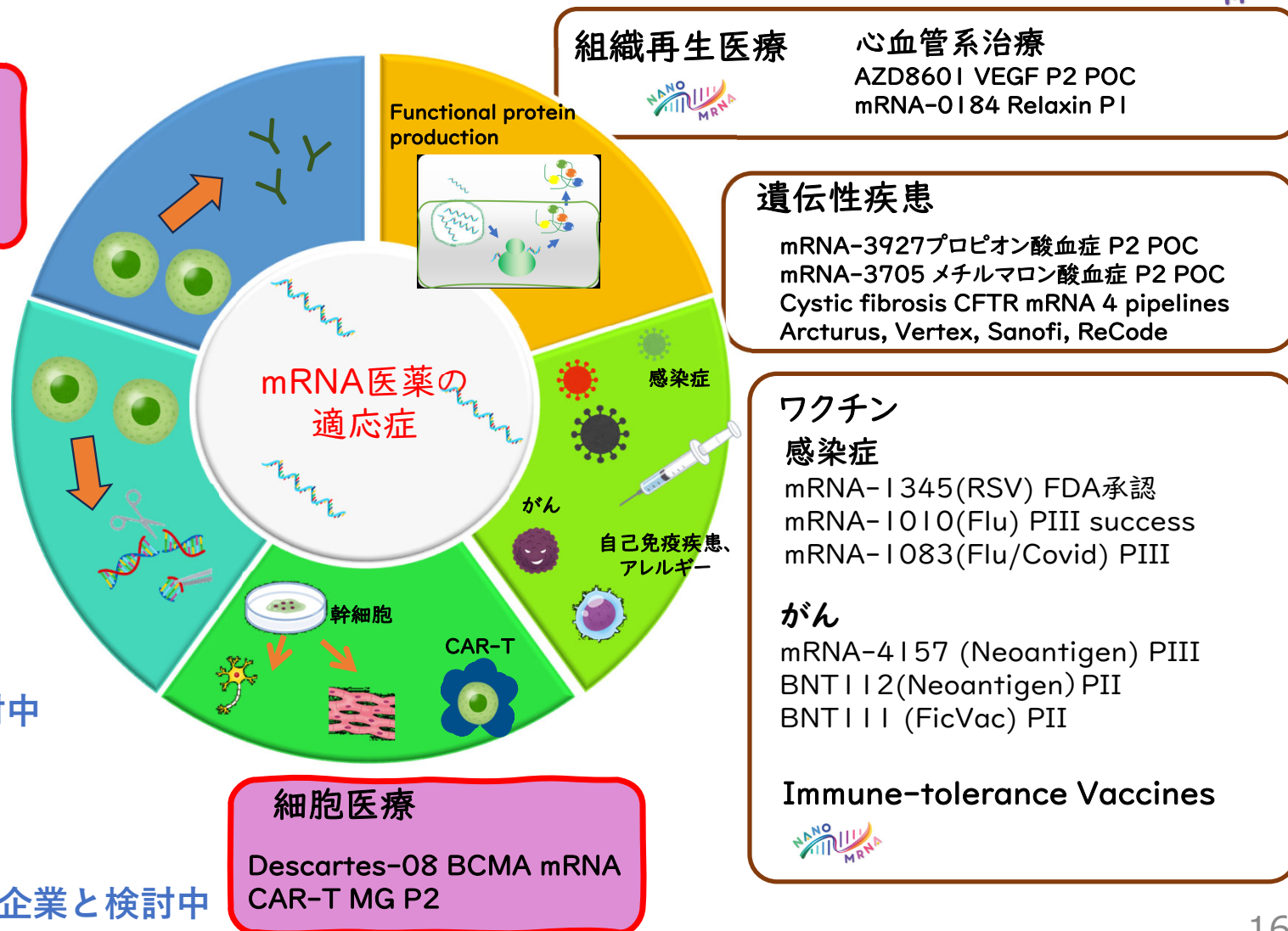
- TUG1 ASOの導出に加えて、YBC-polymerによる共同開発、技術ライセンス
- PRDM14、TUG1プロジェクトのサクセッサー・プロジェクトの推進によるパイプライン強化
 - ✓ 次世代TUG1 ASOプロジェクトを名大・近藤豊先生と共同で推進中(次世代がんグラント)
 - ✓ 新規核酸誘導体を含む展開で膠芽腫以外の固形がんの適応も検討中

➤ mRNA/polyplex nanomicelle



- RUNX1 mRNAの臨床試験開始
- 局所再生薬研究の推進(千寿製薬など)
- mRNAエンコード抗体、ゲノム編集、in vivo/ex vivo CAR-T療法などをアカデミア、バイオベンチャーなどと検討開始

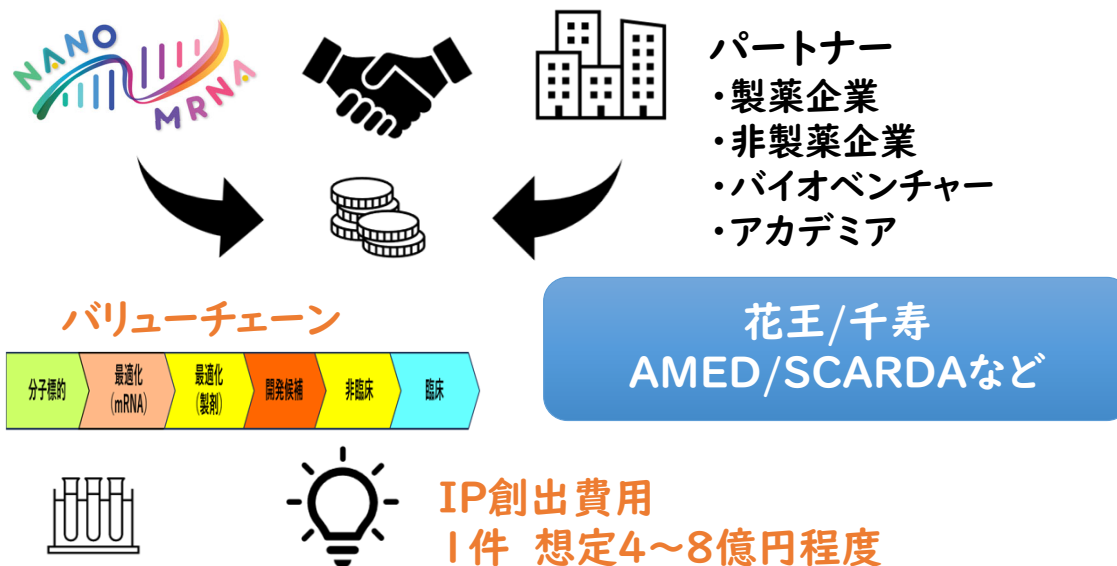
mRNA医薬: 広範な適応 – 世界現状: 2024年 –



収益モデル



協業型・創薬ベンチャー型事業

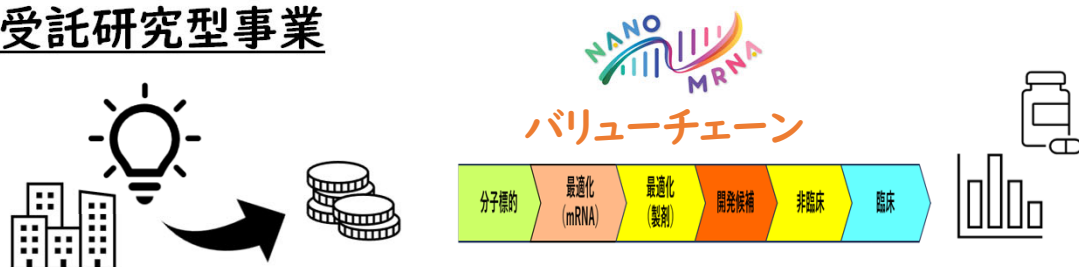


IP導出

グローバル製薬企業などへ導出

契約一時金
+
マイルストーン、ロイヤリティ
(契約時の開発ステージに依存)

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 数千万～数億円程度(想定)

Evolution to NANO MRNA 2.0



NANO MRNA 2.0

第2世代mRNA創薬

- mRNAエンコード抗体
- ゲノム編集
- *in vivo/ex vivo* CAR-T療法など

DDSプラットフォーム技術 の価値最大化

- YBCポリマー
- がん領域

様々な治療技術と融合

臨床POCの取得

NANO MRNA 1.0

第1世代mRNA創薬

- 組織再生・ワクチン

非臨床試験

- siRNA・ASO医薬



初期臨床試験の加速

- POC/POPAの早期取得
 - ・TUG1 ASO
 - ・RUNX1 mRNA

DDSプラットフォーム技術

- YBCポリマー・ナノミセルの価値最大化
- GMP製造可能な企業とのパートナーシップ

mRNA創薬

- 組織再生・ワクチンから新規モダリティへのシフト
- mRNAエンコード抗体、ゲノム編集、*In vivo* / *ex vivo* CAR-T療法等

がん治療に再Focus

- TUG1 successor
- PRDM14 successor
(新規オリゴ核酸 + YBC)



Global leader for “mRNA for health”



2025年3月期 通期決算概要
2026年3月期 事業計画

執行役員CFO 藤本浩治

2025年3月期 連結損益計算書



(単位:百万円)	2024年3月期 実績(連結)	2025年3月期 見込(連結)A	2025年3月期 実績(連結)B	増減 (B-A)
売上高	135	108	108	0
売上原価、販売費及び一般管理費	999	1,001	863	△ 137
内:研究開発費	647	561	422	△ 139
営業損失	△ 864	△ 893	△ 755	137
営業外損益(ネット)	114	37	67	30
経常損失	△ 749	△ 856	△ 687	168
当期純損失	△ 780	△ 994	△ 835	159

売上高要因

化粧品材料供給、受託研究事業及び抗体譲渡

2025年3月期 連結貸借対照表



(単位:百万円)	2024年3月31日	2025年3月31日	増減
現預金、運用債権(手元流動性)	4,277	3,505	△ 771
その他流動資産	184	115	△ 68
固定資産	609	375	△ 233
資産合計	5,071	3,996	△ 1,074
転換社債型新株予約権付社債	1,108	540	△ 568
その他負債	540	716	175
負債合計	1,649	1,257	△ 392
資本金及び資本剰余金	5,665	5,713	47
利益剰余金	△ 2,151	△ 2,986	△ 835
その他有価証券評価差額	△ 108	△ 2	106
新株予約権	15	15	0
純資産合計	3,421	2,739	△ 681
負債・純資産合計	5,071	3,996	△ 1,074

2025年3月期 連結キャッシュフロー計算書



(単位:百万円)	2024年3月期 実績(連結)	2025年3月期 実績(連結)	増減
連結営業キャッシュフロー	△ 585	△ 401	183
連結投資キャッシュフロー	793	587	△ 205
連結財務キャッシュフロー	3	△ 568	△ 572
換算差額	54	4	△ 49
期首残高	1,309	1,575	265
期末残高	1,575	1,197	△ 378

連結財務活動によるキャッシュ・フロー

転換社債型新株予約権付社債の償還による支出 △568百万円

事業計画（2026年3月期）



（単位：百万円）	2025年3月期 実績（連結）	2026年3月期 計画（連結）	増減
売上高	108	75	△ 32
売上原価、販売費及び一般管理費	863	1,041	177
内：研究開発費	422	649	226
営業損失	△ 755	△ 966	△ 210
経常損失	△ 687	△ 856	△ 168
当期純損失	△ 835	△ 860	△ 25

2026年3月期の計画

売上高

化粧品材料供給等

研究開発費

- ① 臨床試験の加速（TUG1 ASO/RUNX1 mRNA）
- ② パイプライン拡充のための研究開発推進



ありがとうございました

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

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

NANO MRNA株式会社 コーポレートコミュニケーション部 03-6432-4791