



2020年12月期 決算短信〔米国基準〕(連結)

2021年2月19日

上場会社名 メディシノバ・インク 上場取引所 東
 コード番号 4875 URL <https://medicinova.jp>
 代表者 (役職名) 代表取締役社長兼 CEO (氏名) 岩城 裕一
 取締役兼 CMO
 問合せ先責任者 (役職名) 東京事務所代表副社長 (氏名) 松田 和子 (TEL) 03 (3519) 5010
 定時株主総会開催予定日 2021年6月16日
 有価証券報告書提出予定日 2021年6月10日 配当支払開始予定日 -
 決算補足説明資料作成の有無 : 有・無
 決算説明会開催の有無 : 有・無 (メディア、機関投資家及びアナリスト向け)

1. 2020年12月期の連結業績 (2020年1月1日~2020年12月31日)

(1) 連結経営成績 (累計)

(単位: 米ドル (千円)、%表示は、対期増減率)

	売上高		営業利益		税引前当期純利益		当社株主に帰属する 当期純利益	
		%		%		%		%
2020年12月期	0	-	△ 14,178,323 (△ 1,481,351)	-	△ 13,855,545 (△ 1,447,627)	-	△ 13,853,897 (△ 1,447,455)	-
2019年12月期	0	-	△ 14,031,077 (△ 1,465,966)	-	△ 12,928,998 (△ 1,350,821)	-	△ 12,941,658 (△ 1,352,144)	-

(注) 包括利益 2020年12月期 △ 13,849,435米ドル (△ 1,446,988千円) (-%) 2019年12月期 △ 12,941,189米ドル (△ 1,352,095千円) (-%)

(単位: 米ドル (円)、%表示は、対期増減率)

	1株当たり当社株主に帰属する 当期純利益	潜在株式調整後1株当たり 当社株主に帰属する当期純利益	株主資本当社株主に 帰属する当期純利益率	総資産 税引前当期純利益率	売上高営業利益率
2020年12月期	△ 0.31 (△ 32)	-	△ 18.9%	△ 17.9%	-
2019年12月期	△ 0.30 (△ 31)	-	△ 17.5%	△ 16.5%	-

(参考) 持分法投資損益 2020年12月期 -米ドル(-千円) 2019年12月期 -米ドル(-千円)

(注) ① 1株当たり当社株主に帰属する当期純利益はASC Topic260「1株当たり利益」に基づいて算出しております。

② 潜在株式調整後1株当たり当社株主に帰属する当期純利益については、1株当たり当社株主に帰属する当期純損失であるため記載しておりません。

(2) 連結財政状態

(単位: 1株当たり金額を除き米ドル (千円)、%表示は、対期増減率)

	総資産	資本合計 (純資産)	株主資本	株主資本比率	1株当たり株主資本
				%	米ドル (円)
2020年12月期	75,419,110 (7,879,788)	71,326,500 (7,452,192)	71,326,500 (7,452,192)	94.6	1.58 (165.08)
2019年12月期	79,205,174 (8,275,356)	74,894,623 (7,824,990)	74,894,623 (7,824,990)	94.6	1.71 (178.66)

(3) 連結キャッシュ・フローの状況

(単位: 米ドル(千円))

	営業活動による キャッシュ・フロー	投資活動による キャッシュ・フロー	財務活動による キャッシュ・フロー	現金及び現金同等物 期末残高
2020年12月期	△ 10,826,362 (△ 1,131,138)	△ 36,492 (△ 3,812)	7,105,759 (742,409)	60,036,763 (6,272,640)
2019年12月期	△ 9,124,987 (△ 953,378)	△ 11,272 (△ 1,177)	10,615,551 (1,109,112)	63,792,657 (6,665,056)

(注) 当社の2020年12月期及び2019年12月期の連結財務諸表の原文は米ドルで表示されています。連結経営成績及び連結財政状態について、カッコ内に表示されている金額は、便宜上、2021年1月29日現在の三菱UFJ銀行の対顧客電信直物相場の仲値に基づき、1米ドル=104.48円で換算された金額です。また記載金額は、表示単位未満を切り捨てて表示しております。

2. 配当の状況

(単位: 米ドル (円))

	1株当たり配当金					配当金総額 (合計)	配当性向 (連結)	株主資本 配当率(連結)
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
2019年12月期	—	—	—	0.00	0.00	0.00	—	—
2020年12月期	—	—	—	0.00	0.00	0.00	—	—
2021年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00		—	

3. 2021年12月期の連結業績予想 (2021年1月1日~2021年12月31日)

2021年12月期の連結業績予想につきましては、具体的な売上高及び営業利益の予想値を公表することが、当社が進めております提携及び導出活動における価値の最大化を阻害する要因となる可能性が想定されます。

また、提携契約の締結に至った場合、契約の内容によっては2021年12月期において見込んでいた研究開発費の一部が相手方負担となる可能性もあり、連結業績の合理的な予測が困難な状況であるため、現時点においては今期の業績予想を記載しておりません。

※ 注記事項

(1) 期中における重要な子会社の異動

(連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動)

: 有・無

新規 (社名)

除外 社 (社名)

(2) 会計方針の変更

① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更

: 有・無

② ①以外の会計方針の変更

: 有・無

(3) 発行済株式数 (普通株式)

① 期末発行済株式数(自己株式を含む)

2020年12月期	45,024,560株	2019年12月期	43,908,065株
2020年12月期	—株	2019年12月期	—株
2020年12月期	44,413,441株	2019年12月期	43,158,830株

② 期末自己株式数

③ 期中平均株式数

※ 監査手続の実施状況に関する表示

・当社は金融商品取引法に基づく財務諸表の監査手続を受けていません。

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

・本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、【添付資料】2 ページ「経営成績に関する分析」をご覧ください。

・連結財務諸表の作成において米国基準を採用しているため、個別業績の概要を記載しておりません。

○ 添付資料の目次

1. 経営成績・財政状態に関する分析	2
(1) 経営成績に関する分析	2
(2) 財政状態に関する分析	3
(3) 事業等のリスク	5
2. 企業集団の状況	26
3. 経営方針	27
4. 連結財務諸表	28
(1) 連結貸借対照表	28
(2) 連結損益及び包括利益計算書	29
(3) 連結株主資本等変動計算書	30
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書	31
(5) 継続企業の前提に関する注記	31
(6) 連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項	32
(7) 連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項の変更	33
(8) 連結財務諸表に関する注記事項	33
5. 連結財務諸表（日本円換算）	41
(1) 連結貸借対照表	41
(2) 連結損益及び包括利益計算書	42
(3) 連結株主資本等変動計算書	43
(4) 連結キャッシュ・フロー計算書	44

※ 本文中の日時は、米国太平洋時間となっています。

1. 経営成績・財政状態に関する分析

医薬品業界を取り巻く環境は厳しさを増しており、新薬の開発競争も激しくなるばかりです。加えて、新薬の申請・承認プロセス及び基準・方針は国や地域により異なるため、新薬を創出するまでの道程は決して平坦ではありません。

このような環境下において、当社では、いかなる環境の変化にも対応できるよう柔軟な経営を心掛けながら、治療法が限られている難病を患う世界中の患者さんに有効な薬を届けることを目的として事業を行っております。中でも、進行型多発性硬化症、ALS、化学療法誘発性末梢神経障害、変性性頸椎脊椎症、グリオブラストーマ、薬物依存（メタンフェタミン依存、オピオイド依存等）等の多様な神経系疾患に加え、急性呼吸窮迫症候群（ARDS）及びその他の疾患を適応とするMN-166（イブジラスト）及びNASH、肺線維症など線維症疾患、あるいは高中性脂肪症を適応とするMN-001（タイペルカスト）に経営資源を収集して新薬を創出すべく邁進しております。

(1) 経営成績に関する分析

(a) 当期の経営成績

(i) 収益

当社は、2020年12月31日及び2019年12月31日に終了した事業年度のいずれにおいても、収益及び売上原価を計上していません。

(ii) 研究開発及びパテント費

2020年12月31日に終了した事業年度の研究開発及びパテント費は、2019年12月31日に終了した事業年度の研究開発及びパテント費6.1百万米ドル（637百万円）と比べて1.4百万米ドル（146百万円）増加し、7.5百万米ドル（783百万円）となりました。この増加は主として、ALSにおいて継続中のMN-166（イブジラスト）の臨床治験に係る費用が前年同期比で増加したことによるものです。

(iii) 一般管理費

2020年12月31日に終了した事業年度の一般管理費は、2019年12月31日に終了した事業年度の一般管理費8.0百万米ドル（835百万円）と比べて1.3百万米ドル（135百万円）減少し、6.7百万米ドル（700百万円）となりました。この減少は主として、業績目標に対する達成度に基づく（一般管理業務にかかわる）役員への株式報酬費用及び法務費用が減少したことによるものです。

(iv) その他の費用（純額）

2019年12月31日に終了した事業年度のその他の費用は約46千米ドル（4,806千円）であったのに対し、2020年12月31日に終了した事業年度のその他の費用は約38千米ドル（3,970千円）でした。その他の費用は、支払利息及び外貨建仕入債務に係る為替差損（純額）で構成されています。

(v) 受取利息

2019年12月31日に終了した事業年度の受取利息は約1.1百万ドル（114百万円）であったのに対し、2020年12月31日に終了した事業年度の受取利息は、約0.4百万ドル（41百万円）でした。この減少は主として、2020年の利息に係る金利が低下したことによるものです。受取利息は、現金及び現金同等物に係る利息により構成されています。

(b) 次期（2021年12月期）の業績見通し

次期（2021年12月期）も引き続き、進行型多発性硬化症、ALS、薬物依存（メタンフェタミン依存、オピオイド依存

等)、グリオブラストーマをはじめとする多様な神経系疾患、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) 及びその他の疾患を適応とするMN-166 (イブジラスト) 及びNASH、肺線維症など線維症疾患を適応とするMN-001 (タイペルカスト) に経営資源を集中し、臨床治験を進めてまいります。これらの開発パイプラインの進捗に伴い、臨床治験にかかる費用が当期よりも多くなり、研究開発費が増加する見込みです。

次期 (2021年12月期) の連結業績予想につきましては、具体的な売上高及び営業利益の予想値を公表することが、当社が進めております提携及び導出活動における価値の最大化を阻害する要因となりうる可能性が想定されます。

また、本資料の発表日現在においては、次期 (2021年12月期) の事業費用について、営業費用として19.4百万米ドル (約2,026百万円) (前期比+36.6%) の支出を見込んでおりますが、提携契約の締結に至った場合、契約の内容によっては研究開発費の一部が相手方負担となる可能性もあり、連結業績の合理的な予測が困難な状況であるため、現時点においては今期の業績予想を記載しておりません。

上記の見通しは本資料の発表日現在において当社の立てたある前提に基づくものであり、これら前提は経営陣の経験や過去の傾向、現況、期待される将来の進展、及びその時の状況下において適切と判断する他の要因に対する経営陣の認識に基づくものであります。このような見通しは多くの前提、リスク、不確定要素の影響を受けますが、これらの多くは当社のコントロールが及ばないものであり、実際の当社の業績は上記の見通しと大きく異なることがあります。これらリスクにつきましては、米国証券取引委員会 (SEC) 提出のメディシノバ・インクにかかる文書に詳述されているリスクファクターが含まれています。リスクファクターの詳細に関しましては、本短信P5~P25をご参照下さい。))

(2) 財政状態に関する分析

(a) 資産、負債、純資産及びキャッシュ・フローの状況に関する分析

当社は2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度において、それぞれ13.9百万米ドル (1,452百万円) 及び12.9百万米ドル (1,347百万円) の当期純損失を計上しました。2020年12月31日現在における当社の累積欠損額は、382.9百万米ドル (40,005百万円) であります。なお、これまで当社の営業損失に対する資金補填は、主として当社株式関連証券の私募、当社普通株式の公募、長期借入、提携先との開発契約及びワラント行使による資金調達 (うち一部は自社株買戻しに使用) により行われてきました。

下表は、2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度におけるキャッシュ・フローの要約です。

(単位: 千米ドル (百万円))

	2020年12月期	2019年12月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△ 10,826 (△ 1,131)	△ 9,125 (△ 953)
投資活動によるキャッシュ・フロー	△ 36 (△ 3)	△ 11 (△ 1)
財務活動によるキャッシュ・フロー	7,106 (742)	10,616 (1,109)
合計	△ 3,756 (△ 392)	1,480 (154)

エクイティ・ファイナンス

当社は、2015年5月22日付けで、MLV & Co. LLC (MLV) との間でATM新株販売代理契約 (2015年ATM契約) を締結しました。同ATM契約により、当社はMLVを通じ、当社普通株式を発行価格総額30.0百万米ドル (3,134百万円) を上限として随時売却することが可能となりました。MLVを通じて普通株式を売却する場合には、1933年証券法 (その後の改正を含む) に基づき公布されたRule 415における定義上で「市場を通じた」株式発行とみなされるあらゆる方法にて売却が実施されることになっていました。これらの方法には、NASDAQその他の既設の普通株式の売買市場で直接売却する方法、並びに、マーケットメーカーへの売却及びマーケットメーカーを通じた売却方法が含まれていました。また、当社の事前承認を前提に、MLVは普通株式を相対取引で売却することも可能でした。当社は、MLVに対して手数料として、同ATM契約に基づき売却された普通株式による手取金総額の4.0%を上限として支払うことに合意していました。当社の手取金は、MLV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ていました。当社は、同ATM契約上、株式を売却するいかなる義務も負わず、また、いつでも書面通知により同ATM契約を解約できる取り決めでした。当社は、2016年9月16日付けで、同ATM契約を修正し、FBR Capital Markets & Co. (FBR) を販売代理人に加えましたが、この2015年ATM契約を2019年8月23日に解約しました。

当社は、2019年8月23日付けで、B. Riley FBR, Inc. (B. Riley FBR)との間でATM新株販売代理契約（2019年ATM契約）を締結しました。同ATM契約により、当社は B. Riley FBRを通じ、当社普通株式を発行価格総額75.0百万米ドル（7,836百万円）を上限として随時売却することができます。B. Riley FBRを通じて普通株式を売却する場合には、1933年証券法（その後の改正を含む）に基づき公布されたRule 415における定義上で「市場を通じた」株式発行と見なされるあらゆる方法にて売却が実施されます。これらの方法には、NASDAQその他の既設の普通株式の売買市場で直接売却する方法、並びに、マーケットメーカーを通じた売却方法が含まれます。また、当社の事前承認を前提に、B. Riley FBRは普通株式を相対取引で売却することもできます。当社は、B. Riley FBRに対して手数料として、同ATM契約に基づき売却された普通株式による手取金総額の3.5%を上限として支払うことに合意しました。当社の手取金は、B. Riley FBR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。

2020年12月31日に終了した事業年度において、当社は普通株式824,798株を1株当たり5.55米ドル（579円）から10.45米ドル（1,091円）までの間の価格で売却し、総額で6.4百万米ドル（668百万円）、純額で6.2百万米ドル（647百万円）の手取金を受領しました。2019年12月31日に終了した事業年度において、当社は普通株式804,963株を1株当たり7.24米ドル（756円）から10.03米ドル（1,047円）までの間の価格で売却し、総額で6.8百万米ドル（710百万円）、純額で6.5百万米ドル（679百万円）の手取金を受領しました。

財政状態及び流動性に影響を与える可能性のある要素

2020年12月31日現在、当社の現金及び現金同等物は60.0百万米ドル（6,268百万円）で、運転資本は58.5百万米ドル（6,112百万円）でした。2021年1月29日、当社は普通株式3,656,307株を1株当たり5.47米ドル（571円）で発行し、第三者割当により、約20百万米ドル（2,089百万円）を調達しました。本短信提出日現在、当社は、少なくとも2022年12月31日までの事業運営にあたって十分な運転資本を確保しているものと考えています。

当社の将来的な資金需要は多くの要素に左右されます。たとえば、以下のような要素が挙げられますが、これらに限定されるわけではありません。

- ・ 将来の臨床治験及びその他の研究開発の進捗及び費用
- ・ 当社の製品開発プログラムの範囲、優先順位及び件数
- ・ 臨床治験、薬事承認又は商取引上の事象に関する様々なマイルストーンの達成時に、将来的なマイルストーンの支払債務が生じる取り決めになっているライセンス契約における当社の義務
- ・ ライセンス付与その他の取り決め等を含む戦略的な協働関係を構築・維持する能力及びさらなる製品候補を取得する当社の能力
- ・ 薬事承認の取得に係る期間及び費用
- ・ 当社の製品候補の臨床治験用生産又は商業生産に要する製造手配を確実にを行うための費用
- ・ 当社の経営陣、人員、システム及び設備を拡充するために必要な費用
- ・ 訴訟に関する費用
- ・ 当社が取得する可能性のある事業の運営又は縮小に関する費用
- ・ 特許権その他の知的財産権の出願、侵害の告発、行使及び防御に関する費用
- ・ 当社の製品候補の販売について薬事承認を取得した場合に必要な、販売及びマーケティング機能並びに商品化活動の構築に要する費用又はこれらを外部に請負わせるために要する費用

(b) キャッシュ・フロー関連指標の推移

	2016年 12月期	2017年 12月期	2018年 12月期	2019年 12月期	2020年 12月期
株主資本比率	86.7%	89.0%	94.7%	94.6%	94.6%
時価ベースの自己資本比率	556.2%	568.8%	448.6%	371.1%	306.8%
キャッシュ・フロー対有利子負債比率	—	—	—	—	—
インタレスト・カバレッジ・レシオ	—	—	—	—	—

(参考) 株主資本比率 (%) 株主資本/総資産
 時価ベースの株主資本比率 (%) 株式時価総額/総資産
 キャッシュ・フロー対有利子負債比率 有利子負債/営業キャッシュ・フロー
 インタレスト・カバレッジ・レシオ 営業キャッシュ・フロー/利払い

(注1) いずれも連結ベースの財務数値により計算しています。

(注2) 時価総額の算定方法は、当期末の東証JASDAQ市場での株価終値×(当期末の発行済み株式数－当期末の自己株式数)となっております。なお、ナスダック・グローバル市場での当期末株価終値による時価ベースの自己資本比率は314.0%となります。

(注3) 営業キャッシュ・フローがマイナスの場合、キャッシュ・フロー対有利子負債比率及びインタレスト・カバレッジ・レシオについては開示していません。

(3) 事業等のリスク

当社の所属する業界は、ダイナミックで変化の早い環境にあり、多くのリスク及び不確実性を抱えております。当社の事業、財務状況及び業績に重大な悪影響を与える事項があり、それらを慎重に考慮する必要があります。したがって、当社の事業を評価するにあたり、本書及びその他の米国証券取引委員会（「SEC」）・東京証券取引所等への提出資料に記載する他の項目とともに、下記に述べるリスクファクターを参照してください。なお、その他の、当社が現在予測していない事象や重要ではないと考えている事象もまた、当社の業績及び財務状況に影響を与える可能性があります。なお、リスクファクターの内容には、2019年度有価証券報告書から大きな変更はありません。

当社の事業及び業界に関連するリスク

リスクファクターの要約

以下は、当社の事業、キャッシュフロー、財政状態及び、又は経営成績に悪影響を与える可能性のある主要なリスク及び不確実性事項の要約であり、これらの影響は重大である可能性があります。この要約は、本項の下記に記載されているリスクと不確実性に関するより詳細な説明を参照していただくことで全体が把握されると考えられますので、詳細とあわせてお読みください。

これらの主要なリスクと不確実性は、以下の項目と関連しています。

当社の事業及び業界に関連するリスク

- 当社は、創設以来多額の営業損失を計上していますが、さらに、近い将来にわたり、かかる損失が継続することを見込んでいます
- 当社の事業運営に必要な資金を調達する能力
- 当社はまだ販売が認可された製品を有しておらず、また、仮に認可を得られても、当面のところ製品販売による収益は期待できません
- 当社は、製品候補MN-166及びMN-001の成功に著しく依存しておりますが、これらの製品候補が首尾よく薬事承認を受け、商品化することを保証することはできません
- 当社が行う様々な開発局面での臨床治験や薬事承認取得に関連する複雑さと不確実性
- NASH及びIPFを適応とするMN-001の開発努力に資源を充当することにより他の製品候補の開発が損なわれる可能性

- 薬事承認を取得することの複雑さ、高いコストと不確実性
- 当社の製品候補に関する厳重な規制の影響
- 当社の製品候補が薬事承認を取得できても、引き続き開発や規制に関わる問題に直面する可能性
- 当社が臨床治験を実施する開発品が望ましくない副作用を引き起こすことによる薬事承認の遅れ、妨げ、又は販売潜在力の制限
- 臨床治験の開始若しくは完了の遅れ、又は臨床治験の中断若しくは中止
- 当社の製品候補の開発・販売を行う権利の喪失
- 広範囲に蔓延するCOVID-19やその他疾病、感染症または公共衛生の緊急事態によるリスク
- 当社の製品候補を開発及び商品化するために第三者との戦略的な提携に依存することによるリスク
- 当社の臨床治験の実施において第三者に依存することによるリスク
- 当社の製品候補の生産を外部製造業者に依存することによるリスク
- 当社の商業用規模で製品候補を製造できる能力
- 当社の製品候補を製造するために必要な原材料の商業的入手の可能性
- 当社の製品候補が販売の承認を受けても、医師、患者及び医学界から受け入れられない可能性
- 当社の製品のユーザーが政府若しくは第三者支払機関から適切な給付や償還を得ることができる能力
- 当社の主要従業員を維持し、鼓舞し、確保できる能力
- 当社の販売、マーケティング・流通能力を構築するための能力
- 医療保健改革政策が当社の事業に及ぼす悪影響
- 当社に対する製造物責任についての訴訟の影響
- 業績の変動が及ぼす影響
- 公開会社として運営するために必要な費用と経営陣の取り組み
- 情報システム障害、ネットワークの混乱、データセキュリティの侵害、又はコンピューター犯罪やサイバー攻撃
- 当社が国際的に事業を行い、製品を販売することに付随する様々なリスク

当社の知的財産に関連するリスク

- 競争力を維持するための適切な当社の財産権の保護
- 当社の営業秘密またその他専有情報の漏洩
- 当社又は第三者の財産権の侵害又は不正利用に関する紛争にかかる費用と及ぼす影響

当社の普通株式への投資及び証券市場に関連するリスク

- 株価の変動
- 当社株式がNASDAQ市場またはJASDAQ市場で上場廃止となる可能性
- ATM契約に基づく普通株式の追加売却が、既存の株主の権利を希薄化し当社普通株式の価格を損なう可能性
- 証券保有者から集合代表訴訟を起こされることにより、事業そのものに対する経営陣の注意力が薄れ、事業に悪影響を及ぼす可能性
- 当社の設立書類及びデラウェア州法に基づく企業買収防止規定の存在は、当社の買収をより複雑にし、当社の取締役及び経営陣の解任及び交代をより困難にする可能性

当社の事業及び業界に関連するリスク

1. 当社は、創立以来多額の営業損失を計上していますが、さらに、近い将来にわたり、かかる損失が継続することを見込んでおります。

当社は、設立当初から多額の純損失を計上しております。2020年12月31日に終了した年度において、純損失は約13.9百万米ドル（1,452百万円）でした。また、設立当初から2020年12月31日までに、382.9百万米ドル（400億円）の累積欠損を計上しています。今後数年間は、既存の開発プログラムの開発継続に伴って相当額の純損失を見込んでいるほか、長期的には、研究開発の拡大及び製品候補、技術または事業などのうち当社を補てんするものをライセンス導入

または獲得する際にも、損失が拡大するおそれがあります。2020年12月31日現在、当社の現金及び現金同等物は60.0百万米ドル（6,268百万円）、運転資金は58.5百万米ドル（6,112百万円）でした。当社が将来十分な資金を調達できる保証はありません。もし当社が追加の資金調達をできないような場合、一つまたは複数のプログラムを売却するか営業を中止する可能性があります。

将来的な当社の資金需要は、下記の事項によって左右されます。

- ・ 将来の臨床治験及びその他の研究開発の経過及び費用
- ・ 当社の製品開発プログラムの範囲、数量及び優先順位
- ・ 臨床治験、薬事承認又は商取引上の事由に関し目標を達成した場合マイルストーンを支払わなければならないという、ライセンス契約上当社が負うべき義務
- ・ ライセンス及びその他協定を含む戦略的提携を確立・維持するために必要な当社の能力
- ・ 薬事承認の取得のタイミング及び費用
- ・ 当社の製品候補の臨床治験用生産又は商業生産に要する製造準備を確保するための費用
- ・ 当社の経営陣、人員、システム及び設備を拡充するために必要な費用
- ・ 訴訟に関する費用
- ・ 当社が取得する可能性のある事業の運営又は縮小に関する費用
- ・ 特許権及びその他知的財産権の出願、侵害の告発、実施及び防御に関する費用
- ・ 当社製品候補の販売のための薬事承認を取得した場合に、営業及びマーケティング機能並びに商品化活動の構築に要する費用またはこれらを外部に請け負わせるために要する費用

当社は、2021年の研究開発費について、2021年にMN-166及びMN-001の開発を引き続き重視したことを理由として、2020年の研究開発費よりも増加するものと予測しています。当面は、多額な営業損失の増加を継続して負担することが予測されております。医薬品の開発に伴う多くのリスク及び不確実性のため、当社は、将来の損失額や利益を上げることのできる時期について予測することができません。

もし将来当社が課税所得を得た場合に、所有者変更が起これば、新規の営業損失の利用または税額控除の繰戻は、1986年内国歳入法382項及び383項に従い実質的に年間限度額の定めに従うことになり、また同様な州の規定に従わなければならないかもしれません。こうした所有者変更は、課税所得及び税金との相殺に利用することのできる新規営業損失及び税額控除の繰越額を制限することとなります。

2. 当社事業の運営に必要な資金調達ができない場合、当社は製品候補を開発し、商品化することができなくなります。

当社は、設立以来多額の資本を消費しております。

当社の事業は引き続き相当額の研究開発費を必要とします。当社は、入手可能な資金源から近々資金調達を行わなければならないと、当社の事業を継続し、現在保有する製品候補の臨床治験を終えることも、順調に開発した製品を上市することもできなくなると考えています。負債やエクイティ・ファイナンス、提携先との取り決め、その他の資金源から、当社に有利な条件で、必要な時に適切な資金が得られるか、又はそもそも資金が得られるかについて、保証はありません。事業に必要なタイミングで十分な追加資金を得られない場合、当社は一つも複数の当社臨床活動若しくは薬事活動の中止、遅延若しくは縮小、又は一般管理費のさらなる削減を余儀なくされる可能性があります。

3. 当社はまだ、販売が認可された製品を有しておりません。また、仮に認可を得られても、当面のところ製品販売による収益は期待できません。

当社は今日まで、主として有価証券の売却、及びこれより少ない程度で負債による資金調達により事業資金を得ております。当社は製品候補の商品化からは収益を一切得ておらず、また、商品化したとしても、今後少なくとも数年間はこの状況が継続するものと思われま。当社は、製品候補が商品化される前の段階においては、当社が戦略的提携関係を結ぶ、または一定の契約関係を締結することができ、かかる契約により規定されている場合にはライセンス導出契約による前払い金及びマイルストーンが当社の主な収入源となると見込んでおります。当社の製品候補の販売から収益を得るには、当社が、単独又は第三者と共同で、大消費市場向けの医薬品を開発し、薬事承認を受け、製造及び販売において成功を取らなければならないと見込んでおります。当社は、これらの活動において成功しない可能性があり、さらに、

当社の営業活動を継続させ、又は採算を取るだけの十分な収益を上げることができない可能性もあります。

4. 当社は、製品候補MN-166及びMN-001の成功に著しく依存しておりますが、これらの製品候補が首尾よく薬事承認を受け、商品化することを保証することはできません。

当社は現在、まだ販売承認を得た製品を有しておらず、今後、医薬品を上市できる保証もありません。医薬品に関わる研究、治験、製造、表示、承認、販売、マーケティング、流通などのすべては、FDA及び米国外の当局の広範な規制に従わなければなりません。当社はFDAへNDAを、又は米国外の規制当局へNDAと同等の申請を提出して、その承認を受けるまでは、米国内で製品候補を商品化し、販売することができません。しかし、FDAの承認までは、長く、コストがかかり、しかも不確実な道程です。当社の事業の成功は、MN-166及びMN-001の開発及び販売の成功に依存しております。現在、この製品候補は、まだ臨床開発段階にあるため、NDA又はNDAと同等の申請は未提出で、販売の許可を受けておりません。

製品候補の安全性や効能について、FDAや米国外の規制当局を満足させる結果を出せず必要な承認を得ることができないような場合をはじめとする多くの理由により、臨床開発プログラムが医薬品としての上市に結びつかないことがあります。臨床治験を経て製品候補開発を進めるには不十分な財務資源及びその他の資源しか持つことができない場合、又は第三者との戦術的提携関係を確保することができない場合には、必要な承認が得られないことも考えられます。臨床治験の完了又は規制当局からの承認取得が適時に行われなかった場合や遅延した場合は、当社の事業及び株価に重大な悪影響を及ぼします。

5. 臨床初期段階の臨床治験の結果がかならずしも後期の臨床結果を予測できるものではないため、いかなる適応においても当社が臨床治験を行うすべての製品候補は、臨床後期において良好な結果を出し、薬事承認に至ることはないかもしれません。

当社の製品候補は医薬品開発に内在する失敗のリスクにさらされています。当社は、製品候補の商品化の薬事承認を受けるに先立ち、当社開発の製品候補がターゲットの適応疾患を患う多様な人種の患者にとって安全で有効性を持つことを、うまくコントロールされた臨床治験により示さなければなりません。初期臨床段階の臨床治験における成功が、たとえ、統計的な有意差が認められていても、後期段階の臨床治験では安全性や有効性を示すことができずに成功を意味しないこともあります。

製薬会社には、初期の臨床治験で有望な結果を得ていたとしても、その後の臨床治験で大きな挫折を経験した例が多く見られます。計画中の臨床治験またはその他の製品候補の臨床治験において、治験デザイン、十分な数の被験者の登録ができない、副作用その他の安全性の問題、薬効の不足などを含む様々の要因により、成功に至らない可能性があります。もしも、製品候補が十分な安全性または有効性を示すことができない場合、その製品候補の開発に重大な遅れが出たり、開発の中止を余儀なくされることがあります。

6. NASH及びIPFを適応とするMN-001の開発努力に資源を充当することにより他の製品候補の開発が損なわれるおそれがあり、その場合包括的な当社の製品開発の効率を制限する可能性があります。

当社はNASH及びIPF治療を目的としてMN-001を開発することを決定しております。これにより、他の製品候補の開発から、財政資源/経営資源を奪い、当該プログラムを完了/継続する見込みを狭めてしまう可能性があります。

7. 成功裡に治療薬剤を商品化するためには、製品候補の臨床治験を完了し、薬事承認を取得しなければならず、この治験は複雑なもので、多大な時間及び費用を費やし、またその失敗の可能性は高く、遅延又は中止される可能性があります。

当社の製品候補は開発、臨床治験、製造及び商品化に関して当局の広範な規制に従わなければなりません。FDA及びその他の規制当局から薬事承認を取得する過程は、多大な時間及び費用を要するとともに不確実であり、さらに予期せぬ遅延を余儀なくされることもあります。製品候補の市販に向けて薬事承認を受けるため、当社は自社費用で、製品候補の安全性と効能を示す目的で、患者である被験者に対して適切でよくコントロールされた臨床治験を行わなければなりません。臨床治験には多大な資本と年月を有し、その結果は不確実なものです。当社は今日までに、臨床治

験を行うために必要な薬事承認を取得しております。当社の製品候補についてFDAからINDが承認され、現在も有効です。

医薬品の商品化に必要な臨床開発を完了するために数年かかる可能性があり、また臨床開発のどの段階においても遅延又は失敗は起こりうることで、そうなれば、FDA又は米国外の規制当局により最終的に承認された当社の製品候補由来の製品を市販・販売することができなくなります。臨床治験の結果がネガティブなものであったり、決定的な結果が出ず、追加の臨床治験及び/又は非臨床治験を実施することを当社が決定したり、又は規制当局に課されたりする場合があります。臨床治験の中間結果は、必ずしも最終結果を予測するものではなく、前臨床試験及び早期の臨床治験における成功は、その後の臨床治験の成功を保証するものではありません。医薬品業界の多くの企業は、早期の治験段階で有望な結果が得られた場合でも、その後の段階の臨床治験において進捗の大幅な停滞を経験しています。加えて、臨床治験完了の遅延や臨床治験から得られたデータに対する規制当局による拒否は、開発コストの増大につながり、該当する製品候補の開発に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。

それぞれの製品候補の臨床治験の実施に関連して、当社は以下のリスクをはじめとする多くのリスクに直面しております。

- ・ 製品候補に適応症に対する効能がないことが判明する可能性
- ・ 臨床治験の被験者が、深刻な副作用またはその他の好ましくない副作用を呈する可能性
- ・ 早期段階の臨床治験で得られた良好な結果と一致しない結果が出る可能性
- ・ FDA又はその他の規制当局が、当社が提案する開発計画に同意しない可能性又は完了した臨床研究の結果を受理しない可能性
- ・ 当社が計画する臨床治験及びそこから得たデータを、FDAなどの薬事当局が不十分であるとみなす可能性（この場合、これにより当社の製品候補について、後期段階における臨床研究で成功を収めるまで、又はこれらの研究により導かれた結果が承認基準を満たしている場合とFDA又はその他の規制当局がみなすまでには、追加的な開発を要することになります。）

もし、当社が保有する製品候補について成功裡に臨床開発を終えることができなければ、規制当局から承認を得ることができないため商品化が不可能となり、かかる製品候補から収益を得ることができなくなります。また、製品候補の臨床治験を行う過程において必要となる十分な財務資源又はその他の資源を得られなければ、必須の薬事承認を受けられない可能性もあります。さらに、当社が薬事承認を受けるために必要な前臨床又は臨床データを提供することができたと思っても、FDA又は米国外の規制当局は、その管轄内における当該製品候補の商品化を最終的に承認しないおそれがあります。このような場合、当社の営業収益獲得能力は著しく制限され、当社の事業に悪影響を及ぼします。また、当社の製品候補が薬事承認を得ることに成功しても、その後も、追加治験の実施、製品表示の変更、製造過程に関する規制要件の変更、医師への書面による勧告又は製品のリコールや回収など、FDAの規制を受け続けることとなります。

8. 当社は、当社の製品候補に関して厳重な規制を受けます。これによって当社製品候補の開発及び販売に遅れが生じるおそれがあります。

当社、当社の外部製造業者、業務提供者、供給業者及び提携先、並びに当社の製品候補は、FDA及びその他米国における規制当局並びに諸外国における同種の規制当局による厳重な規制を受けております。当社の製品候補は、FDAの承認を経るまで、米国市場で販売できません。現在まで、当社の製品候補は、いずれもまだFDAから承認を受けておらず、また、かかる承認をいかなる製品候補についても一切受けられない可能性もあります。FDAの承認を得るためには、通常臨床開発に数年かかり、多くの資源を必要とします。さらに、規制要件や指針の変更はありうることで、また、製品候補や適応症に関する新しい情報が出ることもあります。そうした場合、予期せぬ追加の非臨床治験又は臨床治験を行ったり、これらの変更を織り込んで臨床治験プロトコルの修正を行わなければならない場合もあります。予期せぬ追加の治験には費用がかかるだけでなく、製品候補に対する薬事承認の遅延や拒絶につながるおそれがあります。これらの規制要件は、製品候補の市場規模を制限し、又は追加費用を発生させることがあります。必要な承認の取得が遅れ又は取得できない場合、当社の該当製品候補からの収益力が大幅に弱められ又は全く失われる可能性があります。

さらに、薬事承認の前後において、当社、当社の提携先及び当社の製品候補は数々のFDAの規制上の要求、とりわけ、治験、製造、品質管理、製品表示、広告、販促、流通及び輸出といった事項に関する要求に服します。FDAの規制要件は変更される可能性があり、また政府による追加的な規制が施行される可能性があり、これらは当社、当社の提携先及び当社の製品候補に影響を及ぼす可能性があります。近年注目を集めた特定の医薬品の安全性に関わる有害事象が引き金となり、FDAは承認の条件として、安全性の監視、流通や適応法の制限、患者の教育、表示の改善、特別な梱包又は表示方法、特定の副作用についての迅速な報告、販促資料の事前承認、直接的な対消費者宣伝の制限など、費用のかかるリスク管理プログラムを要求する可能性があります。その上当社は、米国内外における将来的な立法又は行政行為により生じ得る政府の規制の可能性、性質及び程度については予測することができません。

米国以外の市場に当社のいずれかの製品を売り込むためには、当社及び当社の戦略的提携先及びライセンシーは、安全性及び効能に関する当該国の多くの様々な規制要件を満たしていることを立証し、これらを遵守しなければなりません。承認手続は国によって異なり、FDAの課す要件以上のさらなる製品試験及び追加的な事務審査期間を要することがあります。米国以外の国で承認を取得するために要する時間は、FDAからの承認を取得する際に要する時間とは異なることがあります。米国以外の国における薬事承認のプロセスは、FDAからの承認に関する上記記載のリスクのすべてを伴うことがあります。米国を含むある国において薬事承認を得たからといって、他国においても薬事承認を得ることができるとは限りませんが、ある国における薬事承認取得の失敗又は遅延は、他国における薬事承認プロセスに悪影響を与える可能性があります。また、当社が申請する当該製品候補の適応症がすべて承認されるとは限らないため、当社製品の使用が制限され、当社の潜在的なライセンス使用料収入及び製品売上に悪影響を及ぼします。また、当社の受けたいずれかの承認により、販売される製品の適応用法に制限が加えられ、又は多額の費用のかさむ市販後研究を命じられることがあります。

米国内外において適用される規制要件を遵守することができなければ、当社は、罰金その他の民事罰、製品の承認の遅延又は不認可、薬事承認の差し止め又は取り消し、製品リコール、製品の差押え、業務制限、製造又は臨床治験の中止、差し止め及び刑事告発等の様々な規制等の対象となる可能性があり、そのいずれもが当社の業務に損害を与えるものです。

9. 当社の製品候補が薬事承認を取得できても、引き続き開発や規制に関わる問題に直面する可能性があります。

米国における薬事承認を取得しても、FDAが、製品の適応又はマーケティングに関して重大な制限を課す場合や、追加の研究開発及び臨床治験等、コストのかかるおそれのある承認後研究を継続的に要求することがあります。これらの措置によって、製品から得べかりし収益が損なわれる可能性があります。たとえば、MN-166、その他の既存の製品候補又は将来ライセンス導入し若しくは取得する可能性のある製品候補（もしあれば）について、薬事承認を得られたとしても、最終的に、その製品表示に用法に関する制限を加えられ又は当社が定めた適応症を含められないこととなる場合もあります。

当社の製品候補はまた、承認後も、製品表示、梱包、保管、宣伝、販促、記録の保管及び安全性その他の医薬品に関する市販後情報の提出について、継続してFDAの規制に従わなければなりません。それに加えて、承認を受けた製品、製造業者及び製造施設は、常に、定期的な審査・査察を受けることとなります。規制当局が、深刻な又は頻繁に起こる予期せぬ副作用の存在や製品の製造施設に関する問題等、製品に関して既知でない問題を発見した場合は、該当製品又は当社に対して、市場からの製品の回収を含む措置を課すことも考えられます。当社の製品候補がcGMPsなどの当局の適用規制に従わない場合、当局は以下の措置を取る可能性があります。

- ・ 行政警告書 (warning letters) 又はアンタイトルド・レター (untitled letters) の発行
- ・ 各種罰金の賦課、査察費用の償還、特定の措置の期限、違反に対する罰金などを定めた同意判決 (consent decree) の受け入れの要求
- ・ その他の民事・刑事罰の賦課
- ・ 薬事承認の延期
- ・ あらゆる進行中の臨床治験の一時停止
- ・ 当社の提出した審議中の出願又は承認済みの出願に対する補足事項の承認拒否
- ・ 費用のかかる新しい製造要件など、業務制限の賦課
- ・ 製品の差押さえ又は製品リコールの要求

10. 当社が臨床治験を実施する開発品が副作用を引き起こす可能性があります。また、その他にも薬事承認を遅らせたり、阻止したり、販売潜在力を限定する属性を持っているおそれもあります。

当社の開発するいかなる製品候補の副作用も、当社または規制当局に臨床治験の中止、遅延、または中断を余儀なくさせる可能性があり、またFDAまたはその他の規制当局が一部またはすべての適応に対する薬事承認を却下する結果となり、それにより当社は開発プログラムの再評価を余儀なくされる場合があります。これにより、当社は当該製品候補の商品化ができず、販売による売上を上げることができなくなるかもしれません。また、当社が開発し販売承認を得た製品候補に、後から副作用が確認された場合、または副作用と何らかの関連があると認識された場合には、

- ・ 規制当局が製品の承認を撤回する、または処方に限定を課す場合があります。
- ・ 規制当局が、リスクを相殺するに足るより大きい臨床効果を求める場合があります。
- ・ 規制当局が、製品について、その使用方法を制限するなど製品の商業的成功を損なう結果となる追加表示を求める可能性があります。
- ・ 製品の投与方法の変更を余儀なくされる場合があります。また、追加の臨床治験の実施、製品の表示の変更、リスク評価・リスク緩和戦略が必要になるかもしれません。
- ・ 製品の販売中止を余儀なくされることがあります。
- ・ 訴訟を起こされ、患者が被った損害に対し製造物責任を負わなければならない場合があります。
- ・ 受諾可能な条件で提携契約を結ぶことができず、当社のビジネスモデルを実現できない可能性があります。
- ・ 当社の評判を損なうことがあります。

11. 臨床治験の開始若しくは完了の遅れ、又は臨床治験の中断若しくは中止が、費用の増加及び製品候補の薬事承認獲得の遅延又は制限を招く可能性があります。

当社の臨床治験の開始又は完了に遅延が生じた場合、製品開発費用が大きく増加し、製品候補の薬事承認取得が遅れる又は制限されるおそれがあります。臨床治験の開始及び完了には、十分な数の治験実施施設を特定し維持するとともに、それらの治験場に十分な数の患者を登録する必要があります。当社は、製品候補に関する実施中又は計画中の臨床治験の患者登録が予定通り完了するか、あるいは計画外又は実施中の追加臨床治験が予定通り完了するかについて、予想することはできません。

臨床治験の開始及び完了は下記事由の遅延を含む様々な要因によって遅延する可能性があります。

- ・ 臨床治験の開始又は変更の承認の取得
- ・ 想定されている臨床治験受託機関（「CRO」）及び治験実施施設との間で受け入れ可能な条件での契約締結に到ること。かかる条件は、多くの交渉を要し、また、異なるCROや治験実施施設の間では大きく異なってくるものです。
- ・ 臨床治験参加患者の勧誘及び登録
- ・ 臨床治験に参加したものの、治験プロトコル、効能がないこと、個人的な問題若しくは治療による副作用のため治験から離脱しようとする患者又はフォローアップできなくなった患者を維持・確保すること
- ・ 十分な量の製品候補を製造すること
- ・ 想定される治験実施施設における臨床治験を実施し、又は変更するため、治験審査委員会（「IRB」）の承認又は米国外の相当機関の承認を取得すること

加えて、下記事由を含む複数の要因によって、当社、FDA又はその他の規制当局は、臨床治験を遅延させ、中断し又は中止する可能性があります。

- ・ 当社の臨床治験の範囲若しくは計画に関する規制当局との継続的な協議を行った結果、又は当社の臨床治験結果に関して規制当局から補足的情報が要請された結果、INDに関し臨床治験の差し止めが課される場合。また、差し止めを解除し臨床治験を再開すべくFDAその他の規制当局の疑問を氷解させることができない場合
- ・ FDAその他の規制当局による当社、CRO又は臨床治験実施施設の実施する臨床治験に対する検査の結果、臨床治験の差し止めを受ける場合、又は、当該臨床治験に基づくデータを、製品候補の薬事承認の要請のためには利用で

きなくなる可能性がある場合。

- ・ 当社、又は当社のCRO、臨床治験実施施設のスタッフ若しくは臨床治験に携わるその他の第三者業務提供業者の過失又は能力不足によって、規制基準又は当社の治験プロトコルに基づいた臨床治験を行わない、又は行うことができない場合
- ・ 臨床治験における患者の登録数又は確保率が予想を下回る場合
- ・ 治験参加者に許容できないレベルの危険性又は予期せぬ副作用の問題に関する新情報又は許容不可能な健康被害があることが決定的となった場合
- ・ 臨床治験を行うために必要な製品候補やその他原料の供給不足又は品質欠陥
- ・ 臨床治験の継続に十分な資金（たとえば、患者登録の遅れ、追加治験及び研究の実施の要請、当社のCRO又はその他の第三者との業務提携費用の増加による予期せぬコストの負担等を含む。）の欠如
- ・ 製品候補の剤形や投与方法が、意図せず被験者の服薬不履行を引き起こし、その結果、被験者の保持率が低下し十分な解析に必要なデータを充たさない場合。このような場合、治験を完了させることはできません。

当社の臨床治験に遅延が生じる場合、当社製品候補の商品化の見通しは損なわれ、かかる製品候補の開発費用が増大し、かかる製品候補にかかる薬事承認の取得にも遅れ又は制限が生じます。臨床治験の開始又は完了を遅らせる種々の要因が、最終的に製品候補の薬事承認の拒否につながるおそれもあります。さらに、臨床治験のプロトコルの修正があった場合、当社は、IRB又は米国外の相当機関にプロトコルを再提出しなければならないおそれがあります。このことにより、臨床治験の完了が遅延し、又は費用、タイミングの問題や、臨床治験の首尾よい完了に影響が及ぼされることがあります。

12. 当社の製品候補の開発・販売を行う権利の喪失は、当社の事業を著しく損なう可能性があります。

当社は、化合物の開発及び販売を行う権利のライセンスを受けております。

当社には、相互に合意された諸条件に従って、製品候補を開発し、商品化する義務があります。ライセンス導入契約の諸条件の一部又は全部を当社が満たすことができるかどうかは、多くの要因に依存しており、この中には当社には制御不能な要因も含まれています。当社のライセンス導入契約は、当社が本契約に基づく義務について重大な違反を犯し、ある一定の期間内にかかる違反が治癒されない場合には、解除される可能性があります。

当社のライセンス導入契約のいずれかが終了した場合、当社は、かかるライセンスの対象となっている製品候補の開発及び商品化を行う権利を失うこととなります。また、その他の製品候補に関するライセンス導入契約の終了も、当社の事業に著しい悪影響を及ぼすおそれがあります。

13. 広域にわたり蔓延するCOVID-19やその他の疾病や感染症、又はその他公共衛生の緊急事態が、当社の事業、経営成績、財政状態に悪影響を及ぼす可能性があります。

当社は、広域にわたり蔓延するCOVID-19やその他疾病、感染症、又はその他の公共衛生の緊急事態による世界的なサプライチェーンの中断を含む経済や貿易の混乱に悪影響を受ける可能性があります。2019年12月、COVID-19に関連する疾患が報告され、2020年3月に世界保健機関WHOはCOVID-19のパンデミックを宣言しました。COVID-19のパンデミックは、世界経済に悪影響を及ぼし、世界のサプライチェーンを中断させ、金融市場の大きな変動と混乱を引き起こしました。COVID-19のパンデミックが当社の財政状態、流動性、及び将来の経営成績に及ぼす影響の程度は、予想される時間枠で当社が製品開発プログラムを継続的に進める能力を含め、今後のパンデミックの継続期間、拡大の程度、又それによる旅行や輸送の制限によりますが、これらはすべて不確実であり、予想することはできません。長期にわたるグローバルなサプライチェーンと経済の混乱は、当社の事業、経営成績、流動性源へのアクセス及び財政状態に重大な影響を与える可能性があります。

14. 当社の競合会社が当社の製品候補よりもより有効な製品を開発し、市販することによって、当社のビジネス・チャンスを減少又は消滅させる可能性があります。

バイオテクノロジー業界及び医薬品業界は、急速で著しい技術変化の影響を受けます。当社は、米国内外において医薬品企業及びバイオテクノロジー企業、並びに複数の学術・研究機関及び政府機関との競争に直面しており、かか

る競争には今後も継続的に直面することになります。いくつかの競合企業は、当社の製品開発プログラムの目的と同じ疾病及び症状を対象とした製品を有しており、又はそのような医薬品の開発を試みております。競合企業による開発の結果、当社の製品候補が時代遅れになり、又は競争力をなくす可能性があります。競合企業の多くは、すでに承認を得ているか又はより進んだ開発段階にある製品候補を有しています。これらの競合企業が、当社の製品候補に比べより有効で、より安全で、価格が安く、投与方法もより簡便な製品の開発に成功してしまう可能性があります。さらに、当社の製品候補より先に特許権保護 (patent protection) を受けてしまうことや商品化してしまうことも考えられます。また、当社が製品の承認を受けられたとしても、競合企業が、当社が承認を受けた製品の市場を限定的なものとしてしまうような、代替の治療法を開発するおそれもあります。しかも、医薬品業界では、他社の医薬品技術の開発や疾病の予防法などの新たな開発が、急速に起こります。その結果、当社の医薬品候補が時代遅れなものとなることや競争力をなくすことは十分あり得ることです。

当社が対象としている多くの疾病の分野では、潜在的な競合企業が異なる作用機序、魅力的な効能及び安全性プロフィールを有する新しい化合物の開発に取り組んでおります。当社の競合企業の多くは、当社よりも多くの財源、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力並びに製造設備を有します。小規模の企業も同様に、特に独自の創薬研究及び大手医薬品企業や既存のバイオテクノロジー企業との提携契約を通じて、重要な競合相手となる可能性があります。

これらの要因によって、当社の競合企業が、当社より先に薬事承認を取得する可能性、又は当社が製品候補を開発し商品化することを阻むような特許権その他の知的財産権を取得してしまう可能性があります。また、競合企業が、当社のものに比べより有効かつ安価な医薬品を開発する可能性があります。また、これらの競合企業が製品の製造・マーケティングにおいて当社より成功する可能性もあります。さらに、当社製品候補の開発や商品化の助けとなる適切な提携業者又はパートナーを決定するに当たっても、同様な競合に直面することが予想されます。

15. *選択された製品候補を開発及び商品化するために第三者との戦略的な提携に依存することになります。かかる第三者との提携に至った場合、これら製品候補の開発及び商品化に関わる多くの重要な部分につき当社の管理が及ばないこともあります。*

当社の主要戦略は、当社の選択した製品候補に関し、後期臨床治験及びその後の開発、商品化を手がける意欲のある大手医薬品企業との提携関係を探ることにあります。現在までのところ、当社はこうした提携関係を結んでおらず、また合意可能な条件で提携関係を築き、又はそれらの製品候補を商品化することはできない可能性もあります。

これらの戦略的な提携を結ぶことによって、資金について、並びに提携する製品候補の開発、薬事規制及び商品化に係る専門知識について、当社の提携先に依存する可能性があります。当社の製品候補のいずれかに関して戦略的な提携を成功裡に結ぶことができたとしても、当社の提携先は、下記の理由により、当社の製品候補の開発又は効率的な販売を行えない可能性があります。

- ・ 提携先に十分な資源がない場合、又は、現金若しくは人材に限られているなど、内部的な制約により提携先が必要な資源を投入しないことを決定する場合
- ・ 提携先が、提携枠組みの外で、当社の製品候補と競合する可能性のある製品開発に取り組むことを決定する場合
- ・ 提携先が、必要な薬事承認を取得できない場合
- ・ 提携先が、市場機会を魅力的なものではないと決定する場合
- ・ 提携先が、複数の供給先から又は合理的な費用で、必要な材料の十分な量を製造できない場合

また、当社は、提携先を模索するにあたって、世界中のバイオテクノロジー・医薬品企業と競合しています。これらの競合先の多くが当社より大規模であり、かつ財政的コミットメント、人材の提供又は開発、製造、薬事規制若しくは商品化における専門知識及びサポートの点で当社より魅力的な条件を提示することができるのです。

各製品候補につき、当社が提携先を確保し、受諾可能な条件で提携関係を結ぶことができなかつた場合、又はこれらの製品候補を商品化できなかった場合、当社は、当社の製品候補について、開発の完了又は薬事承認の取得に至らないこともあり得ます。このような場合、かかる製品候補から収益を生み出し、採算性を確保又は維持する当社の能力は、大幅に損なわれることとなります。

16. 当社は、当社の臨床治験の実施において第三者に依存しており、これらの第三者が契約上の義務を果たすことができなかった場合や期限を守らなかった場合には、追加の開発費用の発生及び臨床治験の開始又は完了の遅延が起こりうるとともに、当社の製品候補についてタイムラインの見込みどおりに薬事承認が取得できず、また商品化できない場合があります。

当社は、臨床治験の実施、データの収集及び分析並びに提出書類の作成に関する重要な役割の実施について、CRO、医療機関、治験医師、契約研究室及びその他の業務提供者に広範囲にわたり依存しております。当社は、各臨床治験が治験計画又はプロトコルに沿って実施されるように現行の臨床治験の計画及び管理を行っていますが、当社には、当社の製品候補の臨床治験のすべての過程を直接遂行する能力はありません。

FDAは当社及びCROに、通常、適正臨床実施基準（「GCPs」）と呼ばれる規制や基準を遵守することを求めております。この基準は、臨床治験のデータ及び結果が科学的に正確で信頼性があること、並びに臨床治験の参加者が潜在的なリスクについて十分に説明を受けることを保証するために、臨床治験の実施、モニタリング、記録及び結果の報告に関して定められているものです。CROに委託していることによって、GCPsに対する当社の責任及び義務が免除になるわけではありません。臨床治験の実施のために当社が採用するCRO、医療機関、治験責任医師、契約研究所及びその他の業務提供者は当社の社員ではないため、彼らが当社の製品開発プログラムに投入する資源の量及びタイミングについて、当社の支配が及ぶものでもありません。これらの第三者のいずれかが十分な注意や時間、資源を当社の製品開発プログラムにかけることを怠った場合、そのパフォーマンスが標準以下であった場合、又はFDAの査察を受けGCPsを遵守していないことが明らかになった場合等には、関係する臨床治験の完了及び影響を受ける開発プログラムの進展に遅れを生じるおそれがあります。契約により臨床治験の実施を委託するCROは、臨床治験の実施及びその後のデータ収集・解析に重要な役割を果たします。CRO等が義務を履行しない場合、当社の製品候補の臨床開発に悪影響を及ぼすことがあります。また、CRO、治験責任医師及びその他の業務提供者の中には、他の商業組織とかかわりを持つものもあり、そのような商業組織が競合品を開発中又はすでに商品化している場合も考えられます。CRO、治験責任医師及びその他の業務提供者がこのような競合する企業を支持する場合、当社の競争上の地位が危うくなる可能性があります。第三者が契約上の義務を成功裡に履行しない場合や期限を遵守できない場合、又は何らかの理由で臨床データの質や正確性が損なわれた場合、当社の臨床治験は延長、遅延又は中止の事態に陥る可能性もあります。その場合、当社の製品候補に対する薬事承認を取得することができなくなる可能性が生じます。さらに、当社はこれらの業務を提供する代替取引先は多数あると考えておりますが、遅延又は追加支出なく取引先の変更を手配できる可能性は低いと思われま

17. 当社は製品候補の生産を外部製造業者に依存しており、これにより当社の臨床治験及び製品の商品化に遅延が生じ、また費用が増える可能性があります。

当社には、製造設備がなく、また、近い将来において臨床治験用に又は商業営利目的で製品候補の製造設備を設置することを予定しておりません。当社は、臨床治験用に十分な数量の当社製品候補を共同で製造するために、外部製造業者と契約しております。また、当社は、FDAその他規制当局に薬事承認された当社製品候補を商業販売用の十分な数量分製造するために、外部製造業者と契約することを予定しております。当社の製品候補を製造できる競争力のある供給先は他にもあると考えておりますが、供給契約締結に際しては、事業の遅延又は追加支出を要する可能性があります。これらの遅延又は費用については確定的な予測はできません。

外部製造業者に製造を委託していることにより、製造過程の一部に対する当社の支配力は限られています。そのことによって、当社は、薬事承認を受けた製品の商品化及び臨床治験を行う当社の能力に対するリスク、薬事規制の遵守及び品質保証を第三者に依存しているリスク、外部製造業者の長期にわたる供給の拒否又は能力欠如のリスク等の様々な深刻なリスクにさらされることとなります。さらに、医薬品の製造業者は、特に初期生産の拡大などに関して、しばしば困難な問題に直面しています。これらの問題には、生産コストと利益の問題、製品候補の安定性や品質保証検査など品質管理に関する問題、資格を有する人員の不足の問題、連邦・州・米国外の規制遵守の問題などがあげられます。契約外部製造業者が合意した条件を守らない場合も考えられます。外部製造業者が上記のような問題に直面した場合、臨床治験又は商業生産のために製品候補をタイムリーに製造することが困難になり、結果として臨床治験又は薬事承認の遅れ及び収益の逸失又は遅れを招きます。

当社は、商業的製造・供給契約を、製品の商業化のために必要な商取引法上合理的な条件では締結できない可能性があります。このような必要とされる商業的供給契約の確保・維持ができなかった場合、供給の阻害や収益の逸失又は遅延が生じ、当社の事業に悪影響を与える可能性があります。製品候補の商業的規模の生産の準備に関わるいかなる遅れや問題も、FDAやその他の規制当局による製品候補に対する薬事承認の遅れや商業的規模の生産能力の低下につながり、当社の事業に悪影響を与える可能性があります。たとえば当社と契約した外部製造業者は、多様な条件下における、商業的に実行可能な期間を通じた製品候補の安定性を示すために、特定量の製品候補を製造しなければなりません。当社及び当該契約外部製造業者は、製品候補の商品化に対する認可を受けるために、FDAその他の規制当局に対し、かかる製品候補の安定性のデータ、並びに製造法及びその過程の正当性を明示する必要があります。

当社の製造業者は、FDAの命じるcGMP及び（場合により）日米EU医薬品規制調和国際会議（「ICH」）の基準に従って業務を行わなければなりません。当社の外部製造業者が、cGMP及び/又はICHの基準を作成及び遵守できず、またかかる慣行の遵守を文書で立証できなければ、臨床治験の実施及び完了の著しい遅延、製品候補の薬事承認取得の著しい遅延、又は当社製品の市場での販売開始の著しい遅延が生じるおそれがあります。さらに、外部製造業者を変更することは困難です。たとえば、特定の製品候補の外部製造業者を変えた場合、cGMPに基づいた製造過程及び手続の再審査が必要となり、多くの時間と費用がかかる可能性があります。また当社の製造業者が、当社が新しい製造業者に対し当社製品の製造過程及び手続を譲渡するのに十分な協力を行わない場合、又はこれらの過程若しくは手続の一部をカバーする知的所有権を保有しており、当社が当該知的所有権に関してライセンスを取得しなければならない場合もあります。当社の外部製造業者又は当社が適用規制を遵守しない場合、罰金、差し止め命令、民事賠償、薬事承認の遅れ、停止又は取消し、製品の没収又はリコール、業務制限及び刑事告発等の制裁が当社に課せられるおそれがあります。

18. 当社は、商業用規模で製品候補を製造できず、その結果、製品候補の商品化ができない可能性があります。

現在に至るまで、当社の前臨床研究及び臨床治験用製品候補の製造は少量にとどまっています。これらの製品候補のいずれかがFDA又は米国外の同種の規制当局による販売承認を得た場合、当社は、かかる製品候補をより大量に製造しなければならなくなります。当社は、当社の製品候補生産能力を、適時に若しくは合理的な方法で、又は全く成功裡に高めることができない可能性があります。大幅な製造規模の拡大は、新たに適格性の審査を必要とすることがあり、その場合、FDAによる審査及び承認を受けなければなりません。当社が製品候補の生産力を成功裡に高めることができない場合、当該製品候補の薬事承認若しくは市場での販売開始が遅れ、又は供給不足となる可能性があります。当社の製品候補には、精密かつ高品質の製造が必須となります。製造誤差の発生等で、外部製造業者と協力してこのような高い製造基準を達成し維持できない場合には、患者の障害若しくは死亡、製品のリコール若しくは回収、製品試験若しくは流通の遅延若しくは失敗、予算超過、又はその他当社の事業、財務状況及び業績を害するような問題を招く可能性があります。

19. 当社の製品候補を製造するために必要な原材料が、商取引上合理的な条件で、又は全く入手できず、当社製品候補の開発及び商品化に遅れが生じる可能性があります。

当社は、臨床治験用に製造する必要があるAPI及び製品候補の原材料の外部供給業者からの購入につき、当社製品の外部製造業者に依存しております。また、当社の製品のいずれかが販売承認を取得した場合に、当社の製品の販売流通用に製造する必要があるAPI及び完成製品の原材料の外部供給業者からの購入につき、当社製品の製造業者に頼ることになります。当社の製造業者が当社の納品のスケジュールにあわせてかかる原材料を必要とする際に、又は商取引上合理的な条件で、供給業者が、製造業者に対して当該原材料を販売しない可能性があります。当社は、当社の製造業者によるこれらの原材料の取得のプロセス及びタイミングを管理することは一切できません。さらに、当社は現在、これらの原材料の製造について契約を締結しておりません。当社の製造業者が臨床治験用にこれらの原材料を入手できない場合、かかる製品候補の製品試験に遅延が生じ、かかる製品候補の開発能力に著しい影響を与えることとなります。当社製品が薬事承認を取得した後、当社又は当社の製造業者がこれらの原材料を購入できない場合、当該製品の市場での販売開始の遅延又は製品の供給不足が発生し、かかる製品からの収益及び採算性の確保又は維持に重大な悪影響を与えることとなります。

20. 当社の製品候補が販売の承認を受けても、医師、患者及び医学界から受け入れられない場合、潜在的収益が制限されるおそれがあります。

FDA 又はその他規制当局によって当社のいずれかの製品候補の販売承認が得られた場合でも、承認を受けた製品が、市場で、医師、医療従事者及び第三者支払機関によりどの程度受け入れられるか、その結果、当社の採算性及び成長性がどの程度のものになるかは、下記事項を含む複数の要素に左右されます。

- ・ 効能の実証
- ・ 適応症に対する標準療法の変更
- ・ 相対的な利便性及び投与の簡易度
- ・ 副作用の頻度及び重症度
- ・ より安価なジェネリック医薬品等の代替治療の有無、その費用及び有利性
- ・ 規制の対象となる価格の設定及びコストパフォーマンス
- ・ 当社又は当社の提携先による営業及びマーケティング戦略の有効性
- ・ FDA又は米国外の規制当局により要求されている製品表示及び説明書
- ・ 第三者支払機関からの十分な保険金給付又は支払償還の有無

当社が開発する製品候補が、現在の標準療法と同程度に有益な若しくは有益とみなされる治療法を提供できない場合、又は患者に効果をもたらさない場合、かかる製品候補は、仮に商業販売に向けたFDAその他の規制当局からの薬事承認を受けた場合であっても、市場において受け入れられる見込みがなくなると考えられます。薬事承認を取得した製品を効果的に宣伝し販売できるかは、競争力ある価格で医薬品を製造できるか、第三者支払機関の給付又は支払償還を受けることができるかなど、価格の設定及びコストパフォーマンスにかかっています。薬事承認を取得した製品候補が、医師、患者及び第三者支払機関から適切な支持を得られない場合、当社が当該製品から収益を上げる能力は、大幅に縮小されます。また、当社の製品候補の有益性について医薬品業界や第三者支払機関に理解してもらうためには、多大な資源が必要となり、必ずしも成功するとは限りません。

21. 当社の製品が市場に受け入れられない場合、又は当社製品のユーザーが政府若しくは第三者支払機関から適切な給付や償還を得ることができない場合には、当社の収益及び採算性に悪影響を及ぼします。

当社が製品を成功裡に商品化できるか否かは、当社が競争力のある価格で製品を製造することができるか、政府当局、民間の健康保険会社、又は保険維持機構（HMOs）をはじめとするその他の保険機関から製品に対していかに適切な保険金給付及び支払償還並びに関連する手当てを受けることができるかなど、価格の設定及びコストパフォーマンスに大きく依存します。第三者支払機関は、昨今、医薬品や医療サービスの価格に異議を唱えることが増えています。したがって第三者支払機関が、当社の製品について、費用効果があると判断するか否か、又は、当社製品の全部若しくは一部につき保険金給付若しくは支払償還を行うか否かについて、当社に確証はありません。

新しく承認された医薬品及び医療サービス並びに新しく承認された既存の医薬品の適応症に関して、保険金給付又は支払償還が認められるか否かは不確実です。第三者支払機関は、当社の製品について、既存の競合品よりも安全性、効能、又はコストパフォーマンスの点で劣っていると判断し、保険金給付及び支払償還を認めない可能性があります。仮に当社製品について第三者支払機関から保険金給付や支払償還を得ることができなければ、医師は、当社の製品の処方又は投薬を制限するかもしれません。かかる当社製品の使用の削減又は制限は、売上を削減する可能性があります。第三者支払機関が償還を認めたとしても、その支払のレベルが十分でないために、当社製品の売上の収益性が低くなるおそれがあります。

米国またはその他の主要なマーケットにおいて、製品候補が市場に受け入れられるか否か及びその売上は、おおむね医療費還付のポリシーによって決定づけられます。また、米国における絶え間ない医療制度改革が医療又は医薬品の購買力を支配し、大きな影響を与えています。さらに結果として当社の製品に対する保険金給付及び支払償還を不十分なものにすることもあり得ます。多くの第三者機関は、医療コストを削減するため、医薬品リストの使用等を含む様々な方法を試みています。当社の製品のマーケット展開は、この医薬品リスト（かかるリストに掲載された医薬品に対して第三者支払機関が支払償還をするという意味を持った医薬品のリスト）に載るかどうかが鍵を握っています。かかる医薬品リストは、非常に限られた製品しか掲載しなくなってきたため、医薬品企業は、医薬品リストに自社の製品を載せようと、激しくしのぎを削っています。こうした競争の強化が、医薬品業界における価格引き下げの圧力となっています。政府機関を含む第三者支払機関が引き起こしているコスト抑制策が、当社の採算性にも重

大な悪影響を及ぼすおそれがあります。

22. 当社は、経営陣、特に当社代表取締役社長兼チーフ・エグゼクティブ・オフィサー及び経験豊富な科学知識を有する人員に依存しており、当社が、主要従業員を維持し、鼓舞し、確保することができなければ、当社の製品開発プログラムに遅延が生じ、当社の製品候補の開発又は商品化を成功裡に行えない可能性があります。

当社は、執行役及びその他の主要従業員、とりわけ当社の設立者であり当社代表取締役社長兼チーフ・エグゼクティブ・オフィサーを務め、設立当初より日本の医薬品企業からの製品候補のライセンス導入及び日本企業からの資金調達に尽力してきた岩城裕氏による継続的な業務の執行に依存しております。製品候補の当社へのライセンス導入を行っている医薬品企業及び当社からのライセンス導出の可能性のある医薬品企業との間に当社の主要な経営陣が築いた関係は、雇用、取締役会における業務遂行又はコンサルティング契約のいずれによるかを問わず、当社を主要な経営陣の継続的な業務遂行に著しく依存させる結果となっています。また、当社は、当社の製品開発プログラムが高度に技術的な性質を有するため、臨床開発責任者による継続的な業務の遂行に実質的に依存しております。現在のところ、当社の執行役又は主要な従業員が当社を退職する予定はありません。退職した個人は、退職後に当社と競合するその他の事業に従事することが可能です。

当社が新規の製品候補の獲得又はライセンス導入を行った場合、当社の成功は、これらの新しい製品候補の開発を管理する有能な経営陣及び科学知識を有する人員を確保し、維持し、鼓舞できるかに左右されます。特に、当社の製品開発プログラムは、当社がいかに経験豊富な臨床開発及び薬事規制の人員を確保し、維持できるかにかかっております。しかしながら、経験豊富な専門職をめぐっては、当社は多数の企業及び学術機関並びにその他研究機関との獲得競争に直面しております。当社の本社所在地であるカリフォルニア州サンディエゴにおける有能な人材の獲得競争は特に激しいものであります。また、当社は、製品開発又は臨床戦略に関して当社に助言を行う、科学アドバイザー及び臨床アドバイザーを擁しております。しかし、これらの第三者アドバイザーは当社の社員ではなく、他の組織との間で、彼らの当社への貢献を限定的なものとするコミットメント又は契約を締結している可能性があります。また、他の企業と、当社の製品候補と競合する製品の開発に協力する協定を締結している可能性もあります。

当社は経営陣の主要メンバーとの間で雇用契約を結んでおりますが、当社の各従業員は、適切な通知要件に従って、常時その雇用関係を終了することができます。当社には、上級管理職のメンバーをカバーするための「主要役員」の保険がありません。当社が主要な経営陣のいずれかを失えば、適切な代替要員を見つけられず、当社の事業に障害が生じることがあります。

23. 当社が単独であるいは第三者と協働で販売・流通能力を構築できない場合、当社は、製品候補の商品化を成功裡に行えなくなることが考えられます。

現在に至るまで、当社は、医薬品の販売、マーケティング又は流通を一切行っておりません。当社が、自社のいずれかの製品候補につき薬事承認の取得に成功し、又はその他の承認済みの製品を取得すれば、当社は、販売、マーケティング及び流通能力を、当社自身で又は提携先と共に構築することが必要となります。効果的な販売体制及びマーケティング基盤を獲得又は開発するためには、多額の資金及び時間を要するものと考えられ、製品発売の遅れなど、商品化に悪影響を与えるおそれもあります。当社は、適時に又はコストパフォーマンス良く、十分な又は効果的な販売体制を構築及び管理することができない可能性があり、全く構築及び管理できない可能性もあります。また、当社が構築した販売体制については、当社の製品に対する需要を喚起できない可能性もあり、その場合、当社が収益を上げ、採算性を確保又は維持することは難しくなります。加えて、当社が社内販売能力を構築することができなければ、製品販売を目的として、外部業者と契約を結ぶか、あるいは提携を結ぶことが必要となります。当社が、独自であると第三者と提携するとを問わず、適切に販売・マーケティング・流通能力を構築することができない場合は、製品から収益を得ることができず、増加費用が生じ、採算が取れない可能性があります。さらに、当社は米国外において、販売に向けて薬事承認を受けた製品を販売するために戦略的な提携を成立させる予定ですが、このような提携を結ぶことができない場合、当社が直接米国外で当社の製品候補を販売する必要性が生じる可能性があります。この場合、当社はこれに対応して、実務的専門性と販売を支援する流通力をもった国際的販売・マーケティング能力を構築しなければならない可能性があります。

24. 医療保健改革政策は当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

医薬品企業及びバイオテクノロジー企業の事業及び財務状態は、政府及び第三者支払機関による医療保健の費用を抑制し、又は削減する試みに影響を受けます。米国及び米国以外の法域において、医療保健制度の仕組みを変えようとする多くの立法及び規制の提案がこれまでになされてきており、また、これからもなされるであろうと予想されます。たとえば、米国以外のいくつかの国においては、処方薬の価格は政府によって管理されており、当社は、同様の管理を米国でも行うべきだとする提案が継続してなされるだろうと予想しております。もう1つ当社の事業への影響があると予想される改革の提案例は、米国への医薬品の再輸入をめぐる現在の議論です。さらに、かかる提案が未決定の間又は承認された場合、当社の株価、当社の資本調達能力、又は当社の戦略的提携若しくはライセンスを獲得する能力を低下させるおそれがあります。より最近では、非常に多くの医療改革を規定する医療保険改革法案が成立し、これによりコスト、法律的要求事項及び当社の事業に影響が及ぶおそれがあります。

25. 当社は製造物責任について訴訟を起こされる可能性があり、これによって当社が使用できる経営資源を超える重大な債務が生じ、かつ当社の評判を悪化させる可能性があります。

製剤の開発及び商品化には、重大な製造物責任のリスクを伴います。当社又は当社の提携先が、臨床治験に製品候補を使用する場合及びいずれかの承認済みの製品を販売する場合に、製造物責任に関する請求が生じる可能性があります。かかる請求に対して、成功裡に防御することができない場合、多大な賠償責任を課されることがあります。メリットや最終的な結果にかかわらず、製造物責任補償請求は下記の結果を引き起こすおそれがあります。

- ・ 臨床治験参加者の離脱
- ・ 臨床治験施設の使用又は臨床治験そのものの中止
- ・ 製品候補に対する需要の減退
- ・ 当社事業の評判の悪化
- ・ 関連訴訟費用の発生
- ・ 患者その他の原告に対する相当額の仲裁金の支払
- ・ 収益の喪失
- ・ 当社製品候補の商品化の失敗

当社は現在、当社の臨床治験に保険を付しております。当社は、現段階では合理的に十分な保険を付していると考えておりますが、当社の付した保険では、当社の被る可能性のある損失や費用をすべて補償することができないおそれがあります。また、当社が新たな臨床治験又はより大規模な臨床治験を開始する場合、並びに当社の製品候補の販売が承認された場合には、当該保険の補償範囲を増大及び拡張する必要があります。かかる保険は非常に高額となり、又は当社の潜在的債務を十分に補償できない可能性があります。さらに、合理的な価格で十分な保険を付すること又はその他により潜在的な製造物責任請求を防御することができなければ、当社又は当社のいずれかの提携先が開発する製品の薬事承認又は商品化が妨げられる可能性があります。製造物責任請求が認められれば、当社の事業及び業績に重大な悪影響を及ぼす可能性があります。当社のいずれかの製品候補から被害が生じたと主張する第三者が提起する訴訟に当社が勝つことができない場合、かかる請求による債務は、当社の総資産額を超えるおそれがあります。

26. 当社は業績の変動を予想しているため、四半期ごとの実績から将来の実績を予見することは困難です。

当社の四半期ごとの業績は、過去不安定に推移しており、これからも同様の状況が続くものと思われれます。当社の業績が四半期ごとに変動する要因には、以下のものがあげられます。

- ・ 当社の製品候補の開発の状況、特に、当社の製品開発プログラムに関する活動の進展又は終了、及びライセンス契約に基づくマイルストーンの支払のタイミング
- ・ その他の提携契約、ライセンス契約その他これらに類似の契約の締結及びかかる契約に基づき当社がしなければならない支払又は受領のタイミング
- ・ 当社の製品開発プログラムに関わる費用の水準の変化
- ・ 期中に発生した提携関係がもたらす予見不可能な影響
- ・ 適用される規制要件を当社が充足するタイミング
- ・ 当社の臨床開発及びその他の社内研究開発努力の拡大の程度

- ・ 訴訟の費用
- ・ 競合技術及び競合製品並びに市場の進展の影響
- ・ 全般的な経済状況及び業界特有の経済状況

当社の決算の四半期又は年次による比較には必ずしも意味があるとは思われず、将来の実績を予測する目安にすべきとは思われません。

27. 当社は公開会社であるために大幅に増大するコストを継続的に負担することとなります。当社の経営陣は、多大な時間を新たなコンプライアンスへの取り組みに充てなければなりません。

公開会社である当社は、SEC、東京証券取引所JASDAQ市場及びNASDAQ株式市場が施行する規則の他、2002年サーベンス・オクスリー法（「SOX法」）の遵守を義務付けられているため、相当額の弁護士、会計士その他の費用を負担しなければなりません。これらの規則は、有効な開示及び財務に関する統制、並びに適切なコーポレートガバナンスに関わる実務の確立及び維持をはじめとして、公開会社に様々な要求項目を課しています。当社の経営陣をはじめとする関係者は、これらのコンプライアンスについての取り組みを行うためにすでにかかなりの時間を費やし、またこれからも引き続き多くの時間を費やすと思われます。その上、かかる規則は、当社が弁護士及び会計士に支払うコンプライアンス関連の費用を増大させ、また、当社の取締役や執行役の損害保険の更新をより難しく高額なものとしています。その結果、保険範囲及び保険金給付の範囲の縮小に甘んじることになります。

SOX法は当社に、(i)財務報告及び開示のコントロール・手続に関する有効な内部統制の維持を行うこと、(ii)SOX法404条の規定に従い、経営陣による当社の内部統制の有効性の報告を可能にするために、財務報告に関する内部統制の評価を行うことを要求しております。

東京証券取引所JASDAQ市場における当社の上場企業としての義務に従い、当社はSOX法404条か、日本の同趣旨の規定のいずれかに従うことを求められていますが、当社はSOX法404条に従うことを選択しました。さらに当社は、2020年12月31日に終了する年度の財務書類に記述する内部統制に関する報告については、日本の金融商品取引法第193条の第2項柱書又は同項第1号及び監査証明府令第9条に基づき、監査証明を受ける必要があります。SOX法404条及び関連規定を遵守するために、当社は、相当の財政的資源及び経営資源を費やし続けることを義務付けられております。当社は、将来、統制システムの有効性に関して重要な弱点が生じないと確認することはできません。重要な弱点が発見された場合、SEC、東京証券取引所及びNASDAQ株式市場その他の規制当局による制裁又は調査の対象となるおそれがあり、その結果、財政的資源及び経営資源の追加的な負担を余儀なくされ、さらに、費用のかかる訴訟や当社の内部統制に対する世間の信用の失墜などを引き起こすことがあります。こうしたことが起これば、当社の株価に悪影響を与えるおそれがあります。

さらに2010年7月には、ドッド・フランク・ウォールストリート改革消費者保護法(ドッド・フランク法)が成立しました。ドッド・フランク法には、コーポレートガバナンス及び執行役員の報酬に関連した重要な規定が多く定められ、これに従って、SECもプロキシへのアクセスなど、追加の規定を多く定めなければなりませんでした。コーポレートガバナンスや公的開示において高い行動基準を維持するために、当社は、このような遵守プログラムや規則、基準を守るために合理的な範囲で資本を投資しています。これらの投資が、一般管理費を増大し、経営陣の時間やコミットメントを戦略的な利益創出活動から奪ってしまうおそれがあります。

28. 当社は情報技術システム障害、ネットワークの崩壊、データセキュリティの侵害、又はコンピューター犯罪やサイバー攻撃の対象となる可能性があります。

情報システムの障害、ネットワークの崩壊、データセキュリティの侵害並びに巧妙かつ標的を絞ったコンピューター犯罪やサイバー攻撃は、当社の医薬品開発プログラム（当社の規制努力、商品の製造若しくは出荷、業務取引の処理や決算報告の遅延を含みます。）を妨げ又は機密情報の意図的な開示を生じさせることで、当社の業務に支障を来す可能性があります。当社はセキュリティ対策を講じていますが、我々の情報技術やインフラストラクチャはハッカーの攻撃、又は従業員の過失、不正行為やその他混乱による侵害に対して防ぎきれない可能性があります。このような侵害は我々のネットワークを危険にさらし、そこに保存されている情報はアクセスされ、公に開示されたり、紛失または盗難される可能性があります。我々は通常業務において、機密情報を収集しデータセンターやネットワークに保存しますが、それら機密情報の中には、知的財産、企業秘密、ビジネスパートナーや従業員の個人情報等が含まれて

います。機密情報や個人のデータや情報を保護するための我々の取り組みにもかかわらず、当社の施設やシステムまたは、第三者サービス提供者の施設やシステムはセキュリティの侵害、盗難、データのミスプレースや紛失、プログラミング又は人的過失に対応できない可能性があり、機密情報や個人情報の侵害、システム、ソフトウェアソリューション及びネットワークの不正使用、情報への不正アクセス、使用、開示、変更又は破壊、欠陥製品、生産休止及び業務の妨害を引き起こす可能性があり、当社に対する評判、競争力及び営業成績に悪影響を及ぼす可能性があります。経営陣はこれら懸念事項に対処するため、従業員へのトレーニング、特定のデータとシステムの冗長化の導入、他のネットワークセキュリティとの強化やフェイルオーバー、包括的なネットワークとシステムの監視、バックアップと保護システムのメンテナンス、及び内部統制を講じてはいますが、システム障害、データ損失またはセキュリティ侵害が発生した場合に、我々が今日まで実施した対策が十分である保証はありません。その結果、そのような障害、データ損失、セキュリティの侵害が発生した場合、当社の財務状態及び経営成績に悪影響を及ぼす可能性があります。

29. 国際的に当社が事業を行い、製品を販売することに付随する様々なリスクが、当社の事業に深刻な悪影響を及ぼす場合があります。

当社の事業のうち相当の割合が、米国外で営まれています。当社は、薬事、価格、還付・償還、税金、政治あるいは労働に関する非協力的または不利な状況など、国際的な営業活動に付随し当社の事業を脅かすリスクにさらされています。これらのリスクには、下記の例が挙げられます。

- ・ 当社の製品に対する、国ごとに違う、または予期しない薬事要件
- ・ 米国外での人員確保または事業の困難さ
- ・ 当社の製品候補をヨーロッパで販売する場合などある状況下では、販売業者または戦略的提携先に販売努力を過度に依存してしまう可能性
- ・ 米国外の政府の税、規制、許可要件
- ・ 米国及び米国外の政府の関税、貿易制限、価格、為替管理及びその他の規制要件
- ・ 特定の国々においては、インフレ、自然災害、戦争、テロ、または政情不安を含む経済的弱点
- ・ 営業費用の増加及び収益の減少をもたらす通貨の為替レートの変動
- ・ 税、海外に居住(旅行)する従業員に関わる雇用、移住、労働法、規制規則などの遵守
- ・ 米国よりも労働不安がよく見られる国における労働力の不確実さ
- ・ 外交及び貿易関係の変動
- ・ 特に、米国と同程度に知的財産権を尊重、保護しない国において、契約上の権利または知的財産権を行使することへの異議申し立て

上記を含む、国際的に事業を展開することに付随するリスクが当社の事業、財務状態及び経営成績に深刻な影響を及ぼすおそれがあります。

当社の知的財産に関連するリスク

1. 当社が適切に当社の財産権を保護しなければ、当社の競争力が低下する可能性があります。

当社の特許（当社の所有する特許及びライセンス導入した特許の双方を含みます。）が競争上の優位性をもたらすことができないリスクが存在します。たとえば、当社の1つ又は複数の製品候補について当社が薬事承認及び販売承認を取得する前に、当社の特許、とりわけライセンス導入した特許が期限を迎えてしまう場合があります。また、当社の競合企業が、当社の知的財産権が及ぶ範囲を超える方法論及び技術を駆使して、当社製品と類似する製品を開発する可能性があります。APIについての組成物特許は、組成、用法その他の制限に関係なく、医薬品を保護する可能性があります。当社は、当社製品候補のMN-166、MN-001及びMN-221のAPIについて、化合物特許による保護を有していません（但し、MN-001の特定の結晶多形については特許による保護、及びイブジラスト類似体については組成物の発明に関する保護を有しております。）。その結果、必要な薬事承認を取得している競合企業は、当社が保有し又は当社のライセンサーを通して独占的な権利を有する、使用方法、製造方法、処方又は（特にMN-001の場合には）特異的多形特許に関する特許を侵害しない限り、MN-166、MN-001及びMN-221に含まれるものと同じAPIを使用した製品を販売することができます。たとえば、MN-166、MN-001及びMN-221に関して、現在当社は用法特許に依存しております。一方当社は、MN-029の物質特許を保有しています。

当社が許諾を受けた付与済み特許の維持及び当該特許に対する特許出願について、ライセンサーと協議するのが当社の方針です。但し、通常各ライセンサーは、登録特許の維持及び特許出願申請に関して主要な管理責任を担っております。各ライセンサーによる当社のための資金の投入額又は投入のタイミングについては、当社の支配権は、仮に存在したとしても限られたものであり、当社のライセンサーが、仮に当社自らがかかる特許申請を引き受けた場合の当社の優先度と同程度に、これらの特許の登録申請を優先するとは限りません。特許申請プロセスにおけるこうした支配権の欠如及び全般的な不確定要素のために、当社がライセンスを受けた特許の維持、及び当社がライセンスを受けた特許の出願からの特許の追加付与を、当社は保証することはできません。米国において登録済特許の有効性を継続するためには、維持費の支払が義務付けられています。当社は通常、当社のライセンサーにこの支払を依存しており、ライセンサーがその支払を怠った場合には、特許を適時に維持しなかったとして、特許の失権という結果になる可能性があります。米国以外の国の特許庁の多くも、特許及び特許出願の維持のために、定期的な費用の支払を義務付けています。当社は通常、この費用の支払についても支配権を有しておらず、当社のライセンサーが適時にかかる費用を支払うこと、並びに付与済み特許及び係属中の特許出願が放棄されないことを約束することはできません。たとえば、実際に当社のMN-002 (MN-001の代謝産物) に基づきライセンスされた外国特許に関して、一部の費用が適時に支払われなかったということがあったため、その地域における当社の特許が損なわれたおそれがあります。さらに、当社のライセンサーは、外国特許の保護については一定限度の選択を行ったと考えられ、したがって、商取引上重要と思われるすべての国において特許申請が行われているわけではなく、外国特許がすべての国において完了されたわけではない可能性があります。

当社の製品候補及び技術の特許保護には、法律上及び事実上の複雑な問題が絡んできます。当社のライセンス導入契約の大部分は当社に特許権を実施する権利を与えるものであり、義務を課すものではありません。当社のライセンサーにとって当社の特許権の実施に協力することが必要又は有益である範囲でしか、各ライセンサーからの当社のための資金の投入の額若しくはタイミングについて、又は当社による特許権の実施について彼らが設ける優先度について、当社はコントロールできません。当社は、発見が困難な、第三者による当社の知的財産権の侵害、とりわけ製造方法についての特許権の侵害については、知的財産権を保護できない可能性があります。また、当社の知的財産権保有、知的財産権実施能力又はその基礎となるライセンスに対して、異議申立てが行われる可能性があり、これらは時として米国以外の法律に基づいて行われてきましたが、この場合には米国法による保護とは異なる保護をもたらす可能性もあります。

当社又は当社のライセンサーが有する当社製品候補及び技術に関連するいずれの特許又は特許出願についても、競合製品から十分に当社製品候補を保護できるという確証はありません。当社の成功は、当社又は当社へのライセンサーが下記事項を達成できるか否かに一部依存しております。

- 当社の製品候補を保護するための特許の取得及び維持
- 第三者の技術を使用するために必須の又は望ましいライセンス（特許によって保護されている可能性のあるもの）の取得及び維持
- 当社の営業秘密及びノウハウの保護
- 第三者の知的財産権及び財産権を侵害しない事業運営
- 当社が権利を保有する登録済特許の実施
- 特許性のある新たな専有技術開発

当社の財産権に関して将来得られる保護の程度は不明であります。たとえば、以下の可能性が存在します。

- 当社の出願中の特許又は登録済特許の対象となる発明に関して、当社又は当社のライセンサーが最初の発明者でない可能性
- これらの発明に関して当社又は当社のライセンサーが最初の特許出願者でない可能性
- 第三者が独自に当社技術のいずれかに類似する若しくは代替的な技術を開発する可能性又は当社技術のいずれかを複製する可能性
- 当社の出願中の特許がいずれも特許の付与に至らない可能性
- 当社が権利を有する特許では、商業的に実現可能な製品の独占的市場を維持するための基盤を築くことができない可能性、当該特許では、当社に競争上の優位性をもたらすことができない可能性、又は当該特許につき、米国

法若しくは米国以外の法に基づいて第三者から無効、侵害がない若しくは実施不可能であるとの異議を申し立てられるという可能性

- ・ 当社が権利を有するいずれかの登録済特許が、米国内外の特許法において、有効若しくは実施可能ではない可能性、又はその保護の回避に成功される可能性

2. 従業員その他との間で締結されている秘密保持契約が、当社の持つ営業秘密その他専有情報の漏洩を適切に防ぐことができない、又は当社の知的財産権を適切に保護することができないおそれがあります。当社が適切に当社の財産権を保護できなければ、当社の競争力が低下する可能性があります。

当社は低分子化合物という高度に技術的な研究開発分野で事業を展開していることから、専有する営業秘密及び特許を受けていないノウハウを保護するため、営業秘密の保護に一部依存しております。しかし、営業秘密の保護は困難で、第三者が独自に同様又は類似する技術を開発しないという確証はありません。当社は、当社の営業秘密及び特許を受けていないノウハウを保護するために、当社の従業員、コンサルタント、社外の科学研究協力者、当社が後援する研究者及びその他顧問との間で秘密保持契約を締結することを含め対策を講じております。通常の場合、この秘密保持契約は、契約当事者に対し、当社と取引等の関係がある間に当社が開示したすべての秘密情報及び当該当事者が開発したすべての秘密情報に関して、機密を保持し第三者に情報を開示しないことを義務付けています。また、当社は通常、当社に対する業務を提供する過程で当該当事者によって考案された発明は、当社の独占的な財産となる旨当該当事者から合意を得ております。しかし、これらの契約が遵守されず、知的財産権が当社に有効に譲渡されない可能性があります。さらに、当社のライセンサーにより醸成された営業秘密の保護について、当社の支配権は、仮に存在するとしても限定的なものとなります。当社の営業秘密又はノウハウを不法入手し使用している当事者に対し、請求権を執行することは困難であるとともに、費用及び時間を費やすものであり、結果の予測は不可能です。さらに、米国以外の国の裁判所は、営業秘密又はノウハウの保護について米国の裁判所より積極的でない可能性があります。営業秘密保護の取得又は保持ができない場合、当社の競争力に悪影響を及ぼすおそれがあります。

3. 当社又は第三者の財産権の侵害又は不正利用に関する紛争は、多大な時間及び費用を費やすことがあり、不利な結果となれば当社の事業に悪影響を及ぼす可能性があります。

当業界には、特許及びその他知的財産権に関する重大な訴訟が存在します。現在、当社が当事者となっている係属中の知的財産訴訟は一切なく、そのような訴訟のおそれについても既知ではありませんが、将来、当社の製品候補、その用途、製造方法又はその他技術若しくは活動が第三者の知的財産権を侵害しているという請求に基づいて、第三者から訴訟を提起される可能性は存在します。また、化合物及びその用途に関連する特許は多数存在します。当社の化合物、その用途又は製造方法がこのような特許を侵害していると認定された場合、当社は、多額の損害賠償を支払わなければならない又は特許権の許諾を受けるよう努めなければならない可能性があります。当社は、当社の製品候補に関して第三者に付与された有効期限内の特許について、包括的な調査は実施しておりません。したがって、当社の製品候補又はその用途若しくは製造方法についての請求を含む第三者の有効期限内の特許が存在しないと保証することはできません。さらに、米国における特許出願の一部は、特許が付与されるまで秘密裏に行われるため、並びに米国及び諸外国の多くの法域における特許出願は通常申請から18ヶ月間は特許出願が公開されないため、現在又は将来の当社の製品候補に関連し、当社の1つ又は複数の製品候補の開発及び商品化に重大な影響を及ぼしうる登録済特許に至る可能性のある特許出願を、第三者が行っていないという確証はありません。明白に権利を侵害された特許権保有者は、告発された (accused) 侵害者に対し、侵害に係る製品の輸入、製造、マーケティング、流通、使用又は販売を禁じるために民事訴訟を起こすことができます。当社は、当社の知的財産権を実現するため、又は第三者の財産権の範囲、有効性及び執行可能性につき宣言的判決を求めべく訴訟手段を用いる必要が生じることもあります。同様に、当社が不適切に第三者の営業秘密又はその他の専有する情報を使用又は開示したとする旨の請求の対象となる可能性があります。当社が訴訟に巻き込まれた場合、勝訴又は敗訴するかを問わず、当社の経営上及び財政上の資源の大部分を費やす可能性があります。当社の競合企業の一部は、当社より大幅に多くの資源を有しているために、複雑な知的財産訴訟の費用を当社よりも効率的に拠出できる可能性があります。当社は、訴訟費用を支払えない可能性があります。当社又は当社の提携業者に対する法的行為により、以下の事由が起こるおそれがあります。

- ・ 当社に法的責任があるとされた違反行為が故意によるものとみなされ、かつ当社に対する裁判が裁判官により異例と認められた場合、損害賠償、ライセンス使用料、利益損失額、潜在する拡大損害及び弁護士費用を支払わなければならないおそれ

- ・ 当社の製品をその後の開発、商品化及び販売する能力を事実上阻むような、差し止め又はその他同等の措置を控くおそれ
- ・ 当社又は当社の提携業者との間で、正当な又は商取引上合理的な条件でライセンス契約を締結できないおそれ
- ・ 多大な費用が発生し、当社の経営陣にとって業務の妨げとなるおそれ

この結果、既存又は将来の製品候補の開発又は商品化が妨げられる可能性があります。

4. 当社は、当社の従業員が前雇用主の営業秘密を濫用又は開示したとの申し立てを受けることがあります。

バイオテクノロジー又は医薬品の業界によく見られるように、当社は、競合企業又は潜在的競合企業を含む他のバイオテクノロジー企業又は医薬品企業に以前勤めていた者を雇うことがあります。現在、係属中のかかる事案はありませんが、前雇用主の営業秘密やその他の機密情報を、当社の従業員又は当社が過失その他により使用、開示したことを理由に、申し立てを受けることはあり得ます。訴訟において、こうした申し立てに対して抗弁を行う必要があるかもしれません。訴訟に勝訴したとしても、訴訟には多大な費用がかかり、経営の妨げになるおそれがあります。

当社の普通株式への投資及び証券市場に関連するリスク

1. 当社の株価は不安定であるため、売却により利益を確保できない可能性があり、また売却不可能な場合もあり得ます。

当社は、NASDAQグローバル市場と東京証券取引所JASDAQ市場（スタンダード）の2箇所に普通株式の上場をしておりますが、その取引量は比較的少なく、当社普通株式につき活発な証券市場取引は展開されない可能性があります。2020年12月期における一日の平均取引株数は、NASDAQにおいて約618,033株、東京証券取引所JASDAQ市場（スタンダード）において約230,440株でした。

バイオ医薬品企業やバイオテクノロジー企業、特に当社のような初期段階の創薬・医薬品開発企業の株式の取引価格は、沿革的に非常に不安定であり、将来もその状態が続くと思われま。たとえば、2005年2月8日の日本における当社の新規株式公開日以降2020年12月31日までの間、当社の普通株式は、1株あたり高値では4,410円、底値では129円で取引されています。このセクションの他の箇所に記載されたリスク要因以外にも、当社の株価に重大な影響を与えるものには以下の要素が考えられます。

- ・ 臨床治験の結果、当社の製品候補に関する規制当局の決定事項など、当社の製品候補開発の状態
- ・ 提携協定の締結・解約・範囲の縮小及びこうした提携に関する紛争や進展
- ・ 当社の製品候補の薬事承認の取得失敗など、FDA又は米国外の規制当局関係の事項
- ・ 当社又は競合企業の技術革新、新製品又は重大なイベントに関するニュースのリリース
- ・ 当社の知的財産権に関する紛争や進展
- ・ 医薬品又はバイオテクノロジー業界の市場状況
- ・ 四半期又は年度の経営成績の実績及び予想値の変動
- ・ 株式市場全体における価格及び取引量の変動
- ・ 当社の財務実績に関する証券アナリスト又は投資家の予想の変化、さらにその予想に合致しないこと
- ・ 主要従業員の参加又は離職
- ・ 経済紙や科学紙、又はインターネット上の投資家コミュニティによる、当社の事業、経営、製品、財務実績、将来性及び株価などに関する議論
- ・ 当社の製品候補の安全性に関わる訴訟及び社会的関心
- ・ 処方薬の価格設定や入手可能性、医薬品の安全性及び投薬技術についての社会的関心及び法的措置
- ・ 米国及びその他の国々における規制の進展

経済的要素、政治的要素に加え、当社の属する市場や産業に内在する広範な要素もまた、当社の株価に深刻な悪影響を及ぼす可能性があります。

2. 当社株式がNASDAQ市場またはJASDAQ市場で上場廃止となる可能性があります。

上述のリスクに加えて、当社は当該市場が適用する上場維持基準を充たすことができないため上場廃止となり、当社普通株式の市場価格を損ない、株主の株式売却による利益追求を不可能とするおそれがあります。たとえばNASDAQグローバル市場では、一株当たり株価の最低基準以上の維持が条件となっていますが、当社の株価は過去に要求される最低基準を割り込んだことがあります。上場しているいずれかの市場のこうした上場基準に従えない場合には、当社の市場価格を損ない、株式の売却で株主が利益を上げること、または売却そのものができなくなるおそれがあります。

3. ATM契約に基づく普通株式の追加売却が、既存の株主の権利を希薄化し当社普通株式の価格を損なうおそれがあります。

B. Riley FBR, Inc. との間で2019年8月23日に締結したATM新株販売代理契約（2019年ATM契約）により、当社はB. Riley FBRを通じ、発行価額総額75.0百万米ドルを上限として新たに当社普通株式を売却する可能性があります。本ATM契約により、当社は随時に普通株式を追加で売却することができます。現時点の当社普通株式の流動性を考慮すると、本契約による普通株式の売却が、当社普通株式の価格を低下させ、他の株主の権利を相当に希薄化するおそれがあります。相当数の当社普通株式をATM契約により売却すること、または売却するとの予想が、そうでない場合に当社が期待するタイミングと価格より、株式及び株式関連証券を売却することを難しくする場合があります。

4. 当社は証券保有者から集合代表訴訟を起こされる可能性があります。その場合、事業そのものに対する経営陣の注意力が薄れ、事業に悪影響を及ぼすことが考えられます。

過去何度も、株式市場における株価又は取引量の変動が、バイオテクノロジー企業又はバイオ医薬品企業の普通株式価格に影響を与えてきました。全般的な市場の不安定さが、当社の普通株式の株価を引き下げることもあります。今までにも、有価証券の市場価格の低下に続いて株主による集合代表訴訟が起こされることがしばしばありました。過去のバイオテクノロジー企業及びバイオ医薬品企業の株価の変動は、こと当社にもこうした訴訟の著しい危険性が存することを示しております。将来当社はこの集合代表訴訟を提訴される可能性があります。訴訟には通常多大な費用がかかり、経営陣の注意や会社の資源の分散を余儀なくさせるため、当社の事業に悪影響を与えることがあります。

5. 将来起こりうる当社の普通株式の売却によって、当社の株価が下落する可能性があり、株式を転売することが困難になるおそれがあります。

当社の普通株式の大量の売却、又は普通株式が売却可能となることが、当社の普通株式の市場流通価格に悪影響を及ぼすことが考えられます。もしこのようなことが起こり、その状況が継続する場合には、当社が望んでも、証券の売却によって追加資本を得ることが困難になるおそれがあります。さらに、当社の普通株式の買い手を探すことも難しくなる、又は不可能になるかもしれません。

当社は、現行の従業員株式購入プラン（employee benefits plans）の行使のもとで発行可能な全普通株式についてすでに発行登録を行っております。したがって、かかる株式は、付与及び制限について証券法制に準拠した契約上の条件に従うことを条件として、発行と同時に公開市場で売却可能となります。さらに、当社の取締役及び執行役は、将来、普通株式の売却を効果的に行うために、証券取引所法ルール10b5-1に基づいた売却プランプログラム（programmed selling plans）を構築する可能性があります。かかる事情により、公開市場で大量の当社株式が売却された場合、当社の普通株式の取引価格の低下を引き起こし、当社の資金調達能力が損なわれる可能性があります。

6. 当社の設立書類及びデラウェア州法に基づく企業買収防止規定の存在は、当社の買収をより複雑にし、当社の取締役及び経営陣の解任及び交代をより困難にする可能性があります。

当社の再表示基本定款及び改訂附属定款には、支配権の変更を遅らせ若しくは妨げ、当社の普通株式の市場価格を超えるプレミアム価格での入札を妨げ、又は当社普通株式の市場価格及び普通株式保有者の議決権その他の権利に悪影響を及ぼす可能性のある規定が組み込まれております。これらの規定は、株主が当社の取締役及び経営陣の解任及び交代を行うことも困難にしております。

これらの規定は以下の内容を定めております。

- 当社の取締役会のメンバーの解任は、当社株式資本の過半数を保有する株主の賛成投票によってのみ認められること。
- 発行済株式総数を増やすことにより買収を阻止し又は遅らせることを目的として、取締役会に「白紙委任」優先株式の裁量的発行を認めていること。
- 臨時株主総会を招集できる者が制限されていること。
- 取締役候補者の指名又は株主総会の議案事項の提案について、事前通知の要件が定められていること。
- 株主の3分の2の承認がない限り、当社株主が再表示基本定款又は改訂附属定款に一定の修正を加えることを禁じていること。
- 取締役のクラスを分け、任期満了の時期をずらしていること。

また、当社は、保有者による当社株式の取得につき当社取締役会の事前承認を得た場合を除いて、一般に当社普通株式の15%以上を保有する実質株主との企業結合を3年間禁止する、デラウェア州会社法の規定に制約される可能性があります。当社は、これらの規定は、潜在的購入者に対し当社取締役会との交渉を義務付けることによって、より高い対価の提供を受ける機会を当社に与えるものと考えておりますが、買収提案が一部の株主により有益であるとみなされ得る場合にも、これらの規定が適用されます。いずれの場合にも、これらの規定が、第三者による当社の買収を遅らせ又は阻止する可能性があります。かかる遅延又は阻止によって、当社普通株式の市場価格が下落するおそれがあります。

2. 企業集団の状況

(1) 親会社

当社には親会社はありません。

(2) 子会社

本報告書提出日現在の当社の子会社に関する情報は以下のとおりです。

名称	住所	資本金	主要な事業の内容	議決権の所有割合
メディシノバ・リミテッド (ヨーロッパ) (MediciNova (Europe) Limited) (注)	英国ロンドン市	5,000米ドル (522,400円)	欧州 (EU) における 臨床開発	100%
メディシノバ製薬株式会社 (注)	東京都港区	10,000,000円	日本及びアジアに おける事業展開、 IR・PR活動	100%
アヴィジェン・インク	米国カリフォルニア州	29,836米ドル (3,117,265円)	バイオ医薬品企業	100%
メディシノバ・ヨーロッパ・ゲーエムベーハー (MediciNova Europe GmbH) (注)	ドイツミュンヘン市	25,000ユーロ (3,162,000円)	欧州 (EU) における 臨床開発	100%

(注) いずれも当社の特定子会社に該当します。

3. 経営方針

(1) 会社の経営基本方針

当社はまだ十分な治療法が確立されていない様々な疾患及び病態に対する新規医療用医薬品の導入、開発、米国での販売に特化するグローバルな製薬企業を目指しております。これらの製品候補は、前臨床試験後期又は臨床開発初期にあり、広範な安全性及び有効性に関するデータを有していること、市場性が大きく、よりよい治療をもたらす可能性が高いこと、さらに適切な範囲の特許権に保護されていることを満たしていることを、ライセンス導入の際の基本方針としております。現在のところ、当社は、多発性硬化症をはじめとする中枢神経系疾患を適応とするMN-166（イブジラスト）、NASH、肺線維症などを適応とするMN-001（タイペルカスト）の開発に経営資源を集中しています。

(2) 目標とする経営指標

平成25年12月期決算短信（2014年3月28日開示）により開示を行った内容から重要な変更がないため開示を省略します。

当該決算短信は、次のURLからご覧いただくことができます。

<https://medicinova.jp/wp/wp-content/uploads/2017/10/MediciNova20134QTanshin.pdf>

(3) 対処すべき課題と中長期的な会社の経営戦略

当社のゴールは、まだニーズが満たされていない深刻な疾患治療のための様々な医薬品を開発することによって、持続可能なバイオ医薬品事業を展開することです。そのためには、以下の戦略が鍵となっています。

- ・主として、希薄化を伴わない資金調達によって、多様な適応に対するMN-166の開発を目指すこと。

当社は、MN-166の多様なプログラムを、治験責任医師が出資する臨床治験、政府機関、民間組織または公的機関の助成金を受けた臨床治験などを組み合わせて進めていく予定です。ただし、治験薬の供給と安全性に関する薬事関連のサポートを行うことに加え、当社はコンソーシアムからの資金供与による臨床治験にも一定の割合の資金を負担する場合があります。たとえば、当社は、一次進行型及び二次進行型の多発性硬化症を適応とするMN-166のフェーズ2プログラムであるNeuroNEXT治験（もともとはNIHの助成金により実施）に対する資金拠出を行いました。また、ALS患者を登録して行われた臨床治験への資金拠出を行いました。当社はMN-166の臨床開発に関して、さらに戦略的提携先を模索していきます。

- ・NASH、IPF（特発性肺線維症）など線維症疾患を適応としてMN-001を開発していくこと。

当社はMN-001について、当社の資金負担による開発のみならず、助成金を受けて治験責任医師主導で行う開発や、助成金はないが治験責任医師が行うものなど、様々な開発形態を組み合わせで進展させていく予定です。

- ・1社以上の主要医薬品企業と戦略的提携を締結し、製品開発及び商品化を実現すること。

当社は、医薬品治療分野のリーダーとの関係を構築、維持していきます。MN-166、MN-001、MN-221、MN-029などのような製品候補を探している主要な医薬品企業と、人での安全性と有効性の確認・検証を行うフェーズ2臨床治験の完了後直ちに、戦略的提携関係を築く準備があります。

4. 連結財務諸表

(1) 連結貸借対照表

	当連結会計年度 (2020年12月31日)	前連結会計年度 (2019年12月31日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
(資産)		
流動資産		
現金及び現金同等物 (※1)	60,036,763	63,792,657
前払費用及びその他の流動資産	680,171	511,916
流動資産合計	60,716,934	64,304,573
のれん	9,600,240	9,600,240
仕掛研究開発費 (IP&D)	4,800,000	4,800,000
有形固定資産 (純額) (※2)	55,700	40,550
その他の長期資産	246,236	459,811
資産合計	75,419,110	79,205,174
(負債及び株主資本)		
流動負債		
買掛債務	616,629	451,326
未払債務及びその他の流動負債(※3)	1,577,321	1,776,912
流動負債合計	2,193,950	2,228,238
長期繰延収益	1,694,163	1,694,163
繰延税金負債	201,792	201,792
その他の長期負債	2,705	186,358
負債合計	4,092,610	4,310,551
契約債務及び偶発債務		
株主資本		
普通株式 額面0.001米ドル	45,025	43,908
(授權株式数)	(100,000,000株)	(100,000,000株)
(発行済株式数)	(45,024,560株)	(43,908,065株)
払込剰余金	454,296,536	444,016,341
その他の包括損失累計額	△ 88,219	△ 92,681
累積欠損	△ 382,926,842	△ 369,072,945
株主資本合計	71,326,500	74,894,623
負債及び株主資本合計	75,419,110	79,205,174

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(2) 連結損益及び包括利益計算書

	当連結会計年度 (自 2020年1月1日 至 2020年12月31日)	前連結会計年度 (自 2019年1月1日 至 2019年12月31日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
営業収益	—	—
営業費用		
研究開発及びパテント費	7,484,835	6,079,042
一般管理費	6,693,488	7,952,035
営業費用合計	14,178,323	14,031,077
営業損失	△ 14,178,323	△ 14,031,077
受取利息	361,182	1,148,242
その他の費用 (純額)	△ 38,404	△ 46,163
税引前当期純損失	△ 13,855,545	△ 12,928,998
法人所得税等	1,648	△ 12,660
当期純損失	△ 13,853,897	△ 12,941,658
当社株主に帰属する当期純損失	△ 13,853,897	△ 12,941,658
基本及び希薄化後一株当たり当期純損失	△ 0.31	△ 0.30
基本及び希薄化後一株当たり当期純損失の計算に 使用した株式数	44,413,441株	43,158,830株
当社株主に帰属する当期純損失	△ 13,853,897	△ 12,941,658
その他の包括利益 (税引後) 為替換算調整勘定	4,462	469
包括損失	△ 13,849,435	△ 12,941,189

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(3) 連結株主資本等変動計算書

	普通株式		払込剰余金 金額 (米ドル)	その他の包括 利益(損失) 累計額 金額 (米ドル)	累損欠損 金額 (米ドル)	株主資本合計 金額 (米ドル)
	株式数	金額 (米ドル)				
2018年12月31日現在残高	42,081,306	42,081	429,289,968	△ 93,150	△ 356,131,287	73,107,612
株式に基づく報酬費用	-	-	4,112,649	-	-	4,112,649
従業員株式購入プラン(ESPP) における普通株式発行	3,942	4	27,316	-	-	27,320
ATM新株購入及び販売代理契 約における普通株式発行 (発行費用控除後)	804,963	805	6,468,705	-	-	6,469,510
オプション行使による普通株 式発行	1,017,854	1,018	4,117,703	-	-	4,118,721
当期純損失	-	-	-	-	△ 12,941,658	△ 12,941,658
為替換算調整勘定	-	-	-	469	-	469
2019年12月31日現在残高	43,908,065	43,908	444,016,341	△ 92,681	△ 369,072,945	74,894,623

	普通株式		払込剰余金 金額 (米ドル)	その他の包括 利益(損失) 累計額 金額 (米ドル)	累損欠損 金額 (米ドル)	株主資本合計 金額 (米ドル)
	株式数	金額 (米ドル)				
2019年12月31日現在残高	43,908,065	43,908	444,016,341	△ 92,681	△ 369,072,945	74,894,623
株式に基づく報酬費用	-	-	3,175,553	-	-	3,175,553
従業員株式購入プラン(ESPP) における普通株式発行	3,834	4	11,704	-	-	11,708
ATM新株購入及び販売代理契 約における普通株式発行 (発行費用控除後)	824,798	825	6,187,254	-	-	6,188,079
オプション行使による普通株 式発行	287,863	288	905,684	-	-	905,972
当期純損失	-	-	-	-	△ 13,853,897	△ 13,853,897
為替換算調整勘定	-	-	-	4,462	-	4,462
2020年12月31日現在残高	45,024,560	45,025	454,296,536	△ 88,219	△ 382,926,842	71,326,500

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

	当連結会計年度 (自 2020 年 1 月 1 日 至 2020 年 12 月 31 日)	前連結会計年度 (自 2019 年 1 月 1 日 至 2019 年 12 月 31 日)
	金額 (米ドル)	金額 (米ドル)
営業活動：		
当期純損失	△ 13,853,897	△ 12,941,658
当期純損失から営業活動により生成された (使用された) 現金 (純額) への調整：		
非現金の株式に基づく報酬費用	3,175,553	4,112,649
減価償却費及び償却費	21,342	23,944
営業資産及び負債の変動：		
前払費用並びにその他の流動資産及び長期資産	54,954	△ 514,021
買掛債務、未払債務並びにその他の流動負債及び長期負債	△ 224,314	194,099
営業活動によるキャッシュ・フロー (純額)	△ 10,826,362	△ 9,124,987
投資活動：		
有形固定資産の取得	△ 36,492	△ 11,272
投資活動によるキャッシュ・フロー (純額)	△ 36,492	△ 11,272
財務活動：		
普通株式の発行並びにストック・オプションの行使による収入 (発行費用控除後)	7,297,891	10,876,600
新株発行費用	△ 203,840	△ 288,369
従業員株式購入プラン (ESPP) に基づく株式の発行による収入	11,708	27,320
財務活動によるキャッシュ・フロー (純額)	7,105,759	10,615,551
現金に係る換算差額	1,201	△ 53
現金及び現金同等物の増減額	△ 3,755,894	1,479,239
現金及び現金同等物の期首残高	63,792,657	62,313,418
現金及び現金同等物の期末残高	60,036,763	63,792,657

キャッシュ・フローに係る追記情報：

法人税等支払額

1,485

11,265

添付の連結財務書類に対する注記を参照のこと

(5) 継続企業の前提に関する注記

該当事項はありません。

(6) 連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項

1. 会計処理基準に関する事項

この連結財務書類は、主に当社が米国証券取引委員会に提出する2020年度の開示書類(10-K)に含まれる連結財務書類をもとに作成しています。したがって、この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会計原則(米国会計基準)に準拠して作成されており、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。この連結財務書類に含まれる連結貸借対照表、連結損益及び包括利益計算書、連結株主資本等変動計算書、及び連結キャッシュ・フロー計算書については、米国で作成した連結財務書類を翻訳したものでありますが、日本の読者にわかりやすいように、注記事項については日本の連結財務書類の開示制度を勘案して、一部事項の加除・並べ替え等を行っています。また参考資料として、円換算した連結財務書類を「補足資料」として添付しております。

2. 連結の原則に関する事項

当連結財務諸表は、メディシノバ・インク及びその完全所有子会社の勘定を含んでおります。連結会社間取引及び子会社投資勘定はすべて、連結に当たり相殺消去されています。

3. 会計処理基準に関する事項

(1) 収益の計上基準

収益は主に顧客との契約に従って履行される研究開発に係る役務によって構成されています。当社は各契約において独立した履行義務を評価し、当該役務について見積った独立販売価格を考慮しつつ取引価格を各履行義務に配分し、このような義務が一定の期間にわたりもしくは一時時点で充足された時点で、かつ次の要件のいずれかを満たした場合に、収益を計上しています。

- (1) 顧客が、供給業者の履行によって提供される経済的便益を、同時に受け取って消費する。
- (2) 供給業者が、顧客が支配する資産を創出するかまたは増価させる。
- (3) 供給業者の履行が、供給業者が他に転用できる資産を創出しない。
- (4) 供給業者が現在までに完了した履行に対する支払を受ける強制可能な権利を有している。

(2) 仕掛研究開発、長期性資産、及びのれんの評価方法

仕掛中の研究開発(「IPR&D」)または個別に取得したIPR&Dに関連して発生した金額は、発生時に費用計上されます。一方、企業結合に関連してIPR&Dに割り当てられた金額は、公正価値で測定の上、関連する研究開発の完了または中止まで、耐用年数の確定できない無形資産として計上されます。主に製品の上市が規制当局により承認された時などをもって開発が完了すると、関連資産は耐用年数が有限の資産とみなされ、当該資産によってもたらされる経済的便益を最もよく反映する期間にわたって償却されます。資産が耐用年数の確定できない資産とみなされている間は、償却はされませんが、年次で減損のテストが行われ、もし減損の兆候が存在する場合には、より頻繁にテストが行われます。当社はまず、定量的評価を行う必要があるかどうかを判断するための基礎として、報告単位の公正価値がその帳簿価額を下回る確率が50%超か否かを判断するための定性的要因を評価しています。定性的要因を評価した後、報告単位の公正価値がその帳簿価額を下回る確率が50%を超えないと判断した場合、定量的評価は不要となります。これに対して定量的評価が必要と判断された場合、帳簿価額が公正価値を上回る額は減損損失として計上されます。なお定性的評価は、帳簿価額を決定する際に用いられた主要なインプット、仮定、及び論拠並びに最後に行われた定量的評価以降に当該資産に関連して起こった変動に焦点を当てて行われます。当社は年次定性評価の結果に基づいて、表示期間のいずれにおいてもIPR&Dが減損している確率が50%超ではないと結論付けました。

当社は、資産(または資産グループ)の帳簿価額が回収できない可能性があることが何らかの事象または状況の変化により示された場合には、長期性資産の減損について検討を行い、減損分析を実施します。長期性資産

は、資産（または資産グループ）によって発生すると予想される割引前キャッシュ・フローが資産の帳簿価額を下回る場合に減損しているとみなされます。認識が必要な減損損失は、資産（または資産グループ）の帳簿価額がその公正価値を超える金額として測定され、関連資産の帳簿価額の減少及び営業費用への計上として処理されます。当社の長期性資産について、表示期間のいずれにおいても、資産（または資産グループ）の帳簿価額を回収できない可能性を示す事象または状況の変化は見られませんでした。

のれんは、毎年一度（12月31日現在で）、または減損の兆候が存在する場合にはより頻繁に、減損のレビューが行われます。当社は単一の事業セグメント及び報告単位で事業を行っているため、のれんは連結レベルで評価されます。当社はまず、定性的要因を評価して、報告単位の公正価値がのれんを含む帳簿価額を下回る確率が50%超か否かを判断します。もし50%超である場合には、報告単位の公正価値をその帳簿価額と比較する定量的評価に進みます。定性的または定量的なテストのいずれかにおいて、公正価値が帳簿価額を上回った場合、のれんは減損しているとはみなされません。定性的要因としては、経済環境、経営環境、時価総額、営業成績、競争状況、及びその他の要因が挙げられます。当社は、評価に際して、資本の帳簿価格に対して市場時価がどれだけ超過余力があるかという点を最も重視しました。当社は、年次定性評価の結果に基づいて、表示期間のいずれにおいてものれんが減損している確率が50%超ではないと結論付けました。

(7) 連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項の変更

該当事項はありません。

(8) 連結財務諸表に関する注記事項

- (a) 連結貸借対照表、連結損益及び包括利益計算書、連結株主資本等変動計算書、連結キャッシュ・フロー計算書に関する注記事項

(連結貸借対照表)

当連結会計年度 (2020年12月31日)	前連結会計年度 (2019年12月31日)
※1 現金及び現金同等物は、現金並びに取得日後3ヶ月以内に満期日が到来する容易に換金可能なその他の投資で構成されております。2020年12月31日現在の現金同等物は、マネー・マーケット・ファンドです。	※1 現金及び現金同等物は、現金並びに取得日後3ヶ月以内に満期日が到来する容易に換金可能なその他の投資で構成されております。2019年12月31日現在の現金同等物は、マネー・マーケット・ファンドです。
※2 有形固定資産の内訳 (米ドル(千円))	※2 有形固定資産の内訳 (米ドル(千円))
建物付属設備 17,191 (1,796)	建物付属設備 16,326 (1,705)
備品 244,021 (25,495)	備品 236,622 (24,722)
ソフトウェア 318,105 (33,235)	ソフトウェア 285,461 (29,824)
小計 579,317 (60,527)	小計 538,409 (56,252)
減価償却累計額 △ 523,617 (△ 54,707)	減価償却累計額 △ 497,859 (△ 52,016)
有形固定資産（純額） 55,700 (5,819)	有形固定資産（純額） 40,550 (4,236)
減価償却費 21,342 (2,229)	減価償却費 23,944 (2,501)
当社は減価償却費の認識に当たり耐用年数3年乃至5年の定額法を採用しています。2020年12月31日に終了した事業年度において計上した有形固定資産の減価償却費は、21,342米ドル(2,229千円)でした。	当社は減価償却費の認識に当たり耐用年数3年乃至5年の定額法を採用しています。2019年12月31日に終了した事業年度において計上した有形固定資産の減価償却費は、23,944米ドル(2,501千円)でした。

当連結会計年度 (2020年12月31日)	前連結会計年度 (2019年12月31日)
※3 未払債務及びその他の流動負債の内訳 (米ドル(千円))	※3 未払債務及びその他の流動負債の内訳 (米ドル(千円))
未払給与 823,254 (86,013)	未払給与 768,498 (80,292)
臨床治験に関する 未払債務 401,789 (41,978)	臨床治験に関する 未払債務 572,880 (59,854)
専門家報酬 65,207 (6,812)	専門家報酬 80,827 (8,444)
その他 287,071 (29,993)	その他 354,707 (37,059)
合計 1,577,321 (164,798)	合計 1,776,912 (185,651)

(b) 税効果会計

当社の2020年及び2019年12月31日現在における繰延税金資産・負債の重要な構成項目については、以下のとおりです。

	2020年 米ドル (千円)	2019年 米ドル (千円)
繰延税金資産		
繰越欠損金	67,403,329	64,600,662
資産計上されているライセンス	(7,042,299)	(6,749,477)
研究開発費税額控除	98,411	175,831
ストック・オプション	(10,281)	(18,370)
その他(純額)	8,980,935	8,690,484
使用権資産	(938,328)	(907,981)
	2,902,963	3,119,991
	(303,301)	(325,976)
	770,293	601,210
	(80,480)	(62,814)
	39,615	74,380
	(4,138)	(7,771)
繰延税金資産合計	80,195,546	77,262,558
	(8,378,830)	(8,072,392)
繰延税金負債		
使用権負債	△ 35,726	△ 68,202
仕掛研究開発費 (IPR&D)	(△ 3,732)	(△ 7,125)
	△ 1,343,213	△ 1,343,213
	(△ 140,338)	(△ 140,338)
	△ 1,378,939	△ 1,411,415
繰延税金負債合計	(△ 144,071)	(△ 147,464)
	78,816,607	75,851,143
繰延税金資産(純額)	(8,234,759)	(7,924,927)
評価性引当金	△ 79,018,206	△ 76,052,742
	(△ 8,255,822)	(△ 7,945,990)
	△ 201,599	△ 201,599
繰延税金負債(純額)	(△ 21,063)	(△ 21,063)

当社は、繰延税金資産（純額）について、その実現可能性が不確実であることから評価性引当金を計上しています。当社は定期的に繰延税金資産の回収可能性を検討しており、当該繰延税金資産が50%超の確率で実現可能であると判断した場合には、評価性引当金が取崩されます。

当社は2020年12月31日現在、連邦税及びカリフォルニア州税上の繰越欠損金を、それぞれ約267.9百万米ドル（27,990百万円）及び約159.5百万米ドル（16,664百万円）有しております。連邦税上の繰越欠損金は2020年より失効が開始しました。カリフォルニア州税上の繰越欠損金は2028年より失効が開始します。また当社は、2020年12月31日現在、連邦税及びカリフォルニア州税上の研究開発費に係る税額控除繰越額を、それぞれ約7.3百万米ドル（762百万円）及び約2.1百万米ドル（219百万円）有しております。連邦税上の研究開発費に係る税額控除繰越額は2024年より失効が開始しますが、カリフォルニア州税上では失効することなく、使用されるまで無期限で繰越可能です。

2020年3月27日、米国企業が直面した経済的難局に対応するために、コロナウイルス支援・救済・経済安全保障法（CARES法）が署名・法制化されました。CARES法に基づき内国歳入法が改定され、連邦税の繰越欠損金は過年度の所得と相殺するために5年間の繰り戻しが認められ、2020年の課税所得の100%及び2021年以降の課税所得の80%と相殺するために無期限で繰延が可能となりました。

なお、1986年内国歳入法382条（以下「382条」）及び同383条（以下「383条」）並びに同様の州税法の規定により、「株主持分の変更」が発生した場合、将来の課税所得及び税金と相殺するために単年度においてそれぞれ使用できる繰越欠損金及び税額控除繰越額に制限が設けられる可能性があります。382条及び383条が規定するところによれば、一般に、ある特定の株主又は一般株主の株主持分が3年間で50%超増加した場合に、「株主持分の変更」とみなされます。当社は2011年以来、繰越欠損金及び試験研究費に係る税額控除繰越額の使用額制限に関する382条及び383条の分析作業を完了していません。したがって、当該分析を行った2011年12月以降、新たな「株主持分の変更」が発生しているリスクがあります。仮に「株主持分の変更」が発生しているとした場合、繰越欠損金及び税額控除繰越額がさらに消滅又は制限される可能性があります。仮に消滅していた場合には、関連する繰延税金資産及び評価性引当金の金額が減額されることとなります。ただし、評価性引当金はすでに計上済みであるため、今後米国における当社の事業に関連して、「株主持分の変更」による制限が発生しても、当社の実効税率に対する影響はありません。

法定連邦税率から当社の実効税率への調整は以下のとおりです。

	12月31日に終了した事業年度	
	2020年	2019年
	%	%
法定連邦税率	21.0	21.0
州税（連邦税上の税効果控除後）	5.2	3.2
税額控除	2.1	2.0
評価性引当金の増減	△ 21.4	△ 15.0
永久差異	-	△ 0.1
税務上の属性の失効	△ 1.8	-
株式報酬	△ 5.2	△ 11.1
その他	0.1	△ 0.1
法人所得税の負担率	0.0	△ 0.1

当社は連邦、カリフォルニア州、及び米国外の税務管轄区域において税務申告を行っています。当社は税務上の損失を計上していることから、設立当初から現在に至るまで、税務当局による税務調査の対象となる可能性があります。当社の方針として、税務上発生する利息及び課徴金は税金費用として認識します。2020年12月31日現在において、当社には未認識税務ベネフィットはなく、未認識税務ベネフィット又は税

務上の課徴金に係る重要な未払利息もありません。

(c) 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、或いは測定日近辺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同等物の2020年12月31日及び2019年12月31日現在の残高それぞれ694,127米ドル（72百万円）及び691,649米ドル（72百万円）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。

(d) ストック・オプション等

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）及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（以下「2004年プラン」）の後継プランです。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。その後、当社株主は、同プランに基づく発行のために留保される普通株式の数を増やすことを承認し、2020年6月の定時株主総会においては、1,500,000株の増加が承認されました。2020年12月31日現在、合計で8,700,000株の普通株式が2013年プランに基づく将来の発行のために留保されています。これに加えて、随時利用可能となる「返還株式」が、同プランに足し戻されています。なお「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、2004年プランの下での新たな報奨の付与は行っていませんが、同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、引き続き同プランで定められた行使条件等が適用されます。2020年12月31日現在、2,897,135株が、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。

当社は、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、業績評価期間終了時において、報酬委員会で決定し取締役会が承認する、一定の企業目標の達成に関する判断に基づき行われます。取締役会がかかる承認を下した日が、当該報酬の付与日となります。付与日までの期間において、当該報酬に係る費用は、各報告日現在の公正価値に基づき測定されます。2020年12月31日現在、2020年度の業績達成度に応じた付与の対象となる業績連動型ストック・オプションの株式総数は、1,161,000株でした。2021年2月、報酬委員会及び取締役会が2020年度の業績達成度を45%から100%の間の水準で決定したことに伴い1,020,000株分の権利が確定し、残りは失効しました。

ストック・オプション

2013年プラン及び2004年プランにより付与されたオプションは、早期に終了しない限り、付与日より10年間有効であり、一般に付与日から3年ないし4年後に権利が確定します。

2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度中に付与されたすべてのオプションの行使価格は、付与日現在の当社の普通株式の市場価格と一致しています。

当社の2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度におけるストック・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 (株)	加重平均行使価格 米ドル (円)
2020年1月1日 現在未行使残高	6,802,093	5.61 (586)
付与数	1,382,000	6.67 (696)
行使数	△ 287,863	3.15 (329)
取消数	△ 494,843	8.73 (912)
2020年12月31日現在未行使残高	7,401,387	5.70 (595)
2020年12月31日現在行使可能残高	6,120,887	5.48 (572)

	株式数 (株)	加重平均行使価格 米ドル (円)
2019年1月1日 現在未行使残高	6,609,647	4.61 (481)
付与数	1,337,000	9.67 (1,010)
行使数	△ 1,017,854	4.05 (423)
取消数	△ 126,700	8.84 (923)
2019年12月31日現在未行使残高	6,802,093	5.61 (586)

	株式数 (株)	付与日 加重平均公正価値 米ドル (円)
2019年12月31日現在権利未確定残高	1,202,000	2.65 (276)
付与数	1,382,000	3.70 (386)
権利確定数	△ 965,500	5.24 (547)
失効数	△ 338,000	5.31 (554)
2020年12月31日現在権利未確定残高	1,280,500	3.74 (390)

2020年度及び2019年度中に行使されたオプションの本源的価値総額はそれぞれ0.7百万米ドル（73百万円）及び5.2百万米ドル（543百万円）でした。また、未行使及び行使可能なオプションの2020年12月31日現在における加重平均契約期間は、いずれも5.31年でした。

2020年及び2019年12月31日現在において、未行使のオプションの本源的価値総額は、それぞれ5.7百万米ドル（595百万円）及び11.8百万米ドル（1,232百万円）でした。また行使可能なオプションの本源的価値総額も、2020年及び2019年12月31日現在においてそれぞれ5.7百万米ドル（595百万円）及び11.8百万米ドル（1,232百万円）でした。

従業員株式購入プラン

当社の2007年度従業員株式購入プラン（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。留保される株式はさらに、「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、最も少ない株式数だけ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います（ただし、各従業員の給与の15%を超えることはできません）。なお、ESPPは報酬制度とみなされますので、当社は報酬費用を計上しています。

2020年12月31日に終了した事業年度中に、ESPPにより3,834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214,102株となりました。

報酬費用

当社はストック・オプションの見積公正価値を、付与日現在でブラック＝ショールズ・オプション評価モデルにより算定しており、ストック・オプションの付与について以下の加重平均による前提条件を使用しています。

	12月31日に終了した事業年度	
	2020年	2019年
ストック・オプション		
無リスク利率	0.41%	1.72%
普通株式の予想株価変動率	74.08%	57.78%
配当利回り	0.00%	0.00%
オプションの予想期間（年）	4.69	4.59

当社はESPPの見積公正価値を、付与日現在でブラック＝ショールズ・オプション評価モデルを用いて算定しており、ストック・オプションの付与について以下の加重平均による前提条件を使用しています。

	12月31日に終了した事業年度	
	2020年	2019年
従業員株式購入プラン		
無リスク利率	0.15%	2.20%
普通株式の予想株価変動率	81.49%	67.56%
配当利回り	0.00%	0.00%
オプションの予想期間 (年)	0.5	0.5

無リスク利率の仮定値は、当社の従業員ストック・オプションの予想期間に応じた実際の利率に基づいております。予想株価変動率は、当社普通株式の株価のボラティリティに基づいております。当社は創立以来、普通株式について配当を支払ったことはなく、また予見し得る将来においても、普通株式について配当を支払うことは予定しておりません。従来のストック・オプションの行使状況のデータが予想期間の見積りに関する合理的な基礎を提供しないため、オプションの予想期間は、株式報酬に関する会計基準で定められている簡便法に基づいています。

2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度に付与した各ストック・オプションについて、付与日現在でブラック＝ショールズ・オプション評価モデルを使用して見積った加重平均公正価値はそれぞれ、オプション1個当たり3.71米ドル (387円) 及び2.76米ドル (288円) でした。

ストック・オプション及びESPPに関連する株式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。

2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度におけるストック・オプション及びESPPに関連する株式報酬費用の要約は以下のとおりです。

	12月31日に終了した事業年度	
	2020年 米ドル (千円)	2019年 米ドル (千円)
研究開発及びパテント費	1,090,839 (113,970)	1,150,995 (120,255)
一般管理費	2,084,714 (217,810)	2,961,654 (309,433)
合計	3,175,553 (331,781)	4,112,649 (429,689)

2020年12月31日現在、権利未確定のストック・オプション報酬に関連する未償却の報酬費用が0.4百万米ドル (41百万円) あり、これは加重平均の残存権利確定期間である0.16年にわたって定額法にて認識される見込みです。

(e) 一株当たり情報

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損失は、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・オプションは普通株式同等物とみなされます。なお普通株式同等物は、逆希薄化効果があるため、当社の財務諸表に表示されたすべての期間について希薄化後一株当たり純損失の計算から除外されています。

2020年及び2019年12月31日に終了した事業年度において、潜在的に希薄化効果を有する証券はそれぞれ

7,401,387株及び6,802,093株であり、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ています。

(f) 重要な後発事象

2021年1月11日、当社はある投資家との間で証券売買契約書を締結しました。2021年1月29日、当社はこの契約書の定めるところにより、当社普通株式3,656,307株を1株当たり5.47ドル(571円)で発行し、この投資家に第三者割当の方法で割り当てることにより、130,000米ドル(13,582千円)の発行費用控除後で約20百万米ドル(2,089百万円)を調達しました。

(g) セグメント情報

当社は単一の事業セグメントにより運営されているため、セグメント別の記載は省略しております。

(h) 当社の事業に対する新型コロナウイルス感染症の影響

新型コロナウイルス感染症(「COVID-19」または「パンデミック」)の世界的な感染拡大により、国内及び全世界の経済に大きな混乱が生じています。この状況は今後も続くものと予想され、当社の事業にも悪影響が及ぶ可能性があります。パンデミックの影響により、当社の特定の治験実施施設を訪れる患者数に減少が見られましたが、影響は一時的なものと予想しています。実際に、流行初期に比べて訪問患者数は増加しており、臨床治験への患者登録も引き続き実施しています。当社はパンデミックの期間を通して、新規の治験合意書の履行や予算交渉、治験審査委員会(IRB)による承認、治験実施施設でのトレーニング、新規治験実施施設の立ち上げに関連するその他の活動等、日常的な治験活動を継続しています。またCOVID-19の世界的流行を受け、当社は、COVID-19による急性呼吸窮迫症候群(ARDS)に対するMN-166(イブジラスト)の予防効果を評価する臨床治験を計画しました。当社による現状評価としては、COVID-19の世界的流行が当社の臨床開発計画、長期的な開発スケジュール又は流動性に重要な負の影響を及ぼすような事態は想定しておりません。しかしながら引き続き状況を注視し、当社の財務状況、流動性、業務運営、仕入業者、製薬業界及び従業員への影響の把握に努めております。

5. 連結財務諸表（日本円換算）

三菱UFJ銀行が発表した2021年1月29日現在の対顧客電信直物相場から算出した仲値104.48円にて円換算した連結財務諸表は次の通りです。なお、表示科目は連結財務諸表規則に準じて米国基準による科目から一部変更して表示しております。また記載金額は、表示単位未満を切り捨てて表示しております。

(1) 連結貸借対照表

(単位:千円)

	当連結会計年度 (2020年12月31日)	前連結会計年度 (2019年12月31日)
(資産)		
流動資産		
現金及び現金同等物 (※1)	6,272,640	6,665,056
前払費用及びその他の流動資産	71,064	53,484
流動資産合計	6,343,705	6,718,541
のれん	1,003,033	1,003,033
仕掛研究開発費 (IPR&D)	501,504	501,504
有形固定資産 (純額) (※2)	5,819	4,236
その他の長期資産	25,726	48,041
資産合計	7,879,788	8,275,356
(負債及び株主資本)		
流動負債		
買掛債務	64,425	47,154
未払債務及びその他の流動負債(※3)	164,798	185,651
流動負債合計	229,223	232,806
長期繰延収益	177,006	177,006
繰延税金負債	21,083	21,083
その他の長期負債	282	19,470
負債合計	427,595	450,366
契約債務及び偶発債務		
株主資本		
普通株式 額面0.001米ドル	4,704	4,587
(授權株式数)	(100,000,000株)	(100,000,000株)
(発行済株式数)	(45,024,560株)	(43,908,065株)
払込剰余金	47,464,902	46,390,827
その他の包括損失累計額	△ 9,217	△ 9,683
累積欠損	△ 40,008,196	△ 38,560,741
株主資本合計	7,452,192	7,824,990
負債及び株主資本合計	7,879,788	8,275,356

(2) 連結損益及び包括利益計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 2020年1月1日 至 2020年12月31日)	前連結会計年度 (自 2019年1月1日 至 2019年12月31日)
営業収益	—	—
営業費用		
研究開発及びパテント費	782,015	635,138
一般管理費	699,335	830,828
営業費用合計	1,481,351	1,465,966
営業損失	△ 1,481,351	△ 1,465,966
受取利息	37,736	119,968
その他の費用 (純額)	△ 4,012	△ 4,823
税引前当期純損失	△ 1,447,627	△ 1,350,821
法人所得税等	172	△ 1,322
当期純損失	△ 1,447,455	△ 1,352,144
当社株主に帰属する当期純損失	△ 1,447,455	△ 1,352,144
基本及び希薄化後一株当たり当期純損失	△ 32	△ 31
基本及び希薄化後一株当たり当期純損失の計算に 使用した株式数	44,413,441株	43,158,830株
当社株主に帰属する当期純損失	△ 1,447,455	△ 1,352,144
その他の包括利益 (税引後) 為替換算調整勘定	466	49
包括損失	△ 1,446,988	△ 1,352,095

(3) 連結株主資本等変動計算書

(前期)

(単位：千円)

	普通株式		払込剰余金 金額	その他の包括 利益(損失) 累計額 金額	累損欠損 金額	株主資本合計 金額
	株式数	金額				
2018年12月31日現在残高	42,081,306	4,396	44,852,215	△ 9,732	△ 37,208,596	7,638,283
株式に基づく報酬費用	-	-	429,689	-	-	429,689
従業員株式購入プラン(ESPP) における普通株式発行	3,942	0	2,853	-	-	2,854
ATM新株購入及び販売代理契 約における普通株式発行 (発行費用控除後)	804,963	84	675,850	-	-	675,934
オプション行使による普通株 式発行	1,017,854	106	430,217	-	-	430,323
当期純損失	-	-	-	-	△ 1,352,144	△ 1,352,144
為替換算調整勘定	-	-	-	49	-	49
2019年12月31日現在残高	43,908,065	4,587	46,390,827	△ 9,683	△ 38,560,741	7,824,990

(当期)

(単位：千円)

	普通株式		払込剰余金 金額	その他の包括 利益(損失) 累計額 金額	累損欠損 金額	株主資本合計 金額
	株式数	金額				
2019年12月31日現在残高	43,908,065	4,587	46,390,827	△ 9,683	△ 38,560,741	7,824,990
株式に基づく報酬費用	-	-	331,781	-	-	331,781
従業員株式購入プラン(ESPP) における普通株式発行	3,834	0	1,222	-	-	1,223
ATM新株購入及び販売代理契 約における普通株式発行 (発行費用控除後)	824,798	86	646,444	-	-	646,530
オプション行使による普通株 式発行	287,863	30	94,625	-	-	94,655
当期純損失	-	-	-	-	△ 1,447,455	△ 1,447,455
為替換算調整勘定	-	-	-	466	-	466
2020年12月31日現在残高	45,024,560	4,704	47,464,902	△ 9,217	△ 40,008,196	7,452,192

(4) 連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	当連結会計年度 (自 2020 年 1 月 1 日 至 2020 年 12 月 31 日)	前連結会計年度 (自 2019 年 1 月 1 日 至 2019 年 12 月 31 日)
営業活動：		
当期純損失	△ 1,447,455	△ 1,352,144
当期純損失から営業活動により生成された（使用された）現金（純額）への調整：		
非現金の株式に基づく報酬費用	331,781	429,689
減価償却費及び償却費	2,229	2,501
営業資産及び負債の変動：		
前払費用並びにその他の流動資産及び長期資産	5,741	△ 53,704
買掛債務、未払債務並びにその他の流動負債及び長期負債	△ 23,436	20,279
営業活動によるキャッシュ・フロー（純額）	△ 1,131,138	△ 953,378
投資活動：		
有形固定資産の取得	△ 3,812	△ 1,177
投資活動によるキャッシュ・フロー（純額）	△ 3,812	△ 1,177
財務活動：		
普通株式の発行並びにストック・オプションの行使による収入（発行費用控除後）	762,483	1,136,387
新株発行費用	△ 21,297	△ 30,128
従業員株式購入プラン(ESPP)に基づく株式の発行による収入	1,223	2,854
財務活動によるキャッシュ・フロー（純額）	742,409	1,109,112
現金に係る換算差額	125	△ 5
現金及び現金同等物の増減額	△ 392,415	154,550
現金及び現金同等物の期首残高	6,665,056	6,510,505
現金及び現金同等物の期末残高	6,272,640	6,665,056

キャッシュ・フローに係る追記情報：

法人税等支払額

155

1,176