企業調査レポート

NANO MRNA

4571 東証グロース市場

企業情報はこちら >>>

2025 年 7 月 15 日（火）

執筆：客員アナリスト
清水啓司
FISCO Ltd. Analyst **Keiji Shimizu**

FISCO Ltd.
https://www.fisco.co.jp

NANO MRNA
4571 東証グロース市場

2025 年 7 月 15 日（火）
https://www.nanomrna.co.jp/ir/

目次

■要約 01

1. 初期臨床段階にあるパイプラインの進捗状況 01
2. mRNA 医薬の成長領域へシフト 01
3. ステージアップした研究開発戦略及び成長戦略 02

■会社概要 03

1. 会社沿革 03
2. 事業概要 03
3. 特徴と強み 04

■開発パイプラインの動向 04

■業績動向 06

1. 2025 年 3 月期の業績概要 06
2. 2026 年 3 月期の業績見通し 07

■成長戦略とビジネスモデル 08

1. 研究開発の方向性 08
2. mRNA 医薬の成長領域へのステップアップ 09
3. RNA 医薬の開発と第 2 世代 mRNA への本格的参入に向けた新成長戦略「NANO MRAN2.0」 09
4. 開発戦略の見直し及び収益モデルの再構築 10

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

要約

DDS 技術と RNA 創薬を軸に、次世代医薬市場での成長目指す

NANO MRNA<4571> は、1996 年にナノキャリア株式会社として設立されたバイオベンチャーで、当初はドラッグデリバリーシステム（DDS）技術を活用した抗がん剤開発に取り組んでいた。2020 年にアキュルナ（株）を吸収合併し、次世代医薬品の中核となる核酸医薬パイプラインを獲得した。2023 年 1 月には、COVID-19 ワクチンの実用化を通じて注目を集めた mRNA 医薬※1 を中心とする RNA 医薬※2 に集中し、知的財産（IP）の創出・導出に重点を置くビジネスモデルへと転換した。mRNA 医薬は、ワクチン以外にもがんや希少疾患など幅広い疾患へ応用できると考えられており、同社も mRNA 医薬を中心とする RNA 医薬の研究開発に注力する。創製した医薬品候補は、開発初期段階で導出することにより収益化を目指す方針である。また、新たな収益源として、2024 年から顧客のニーズに応える形で mRNA 医薬の受託研究型事業を新たに開始した。さらに、既に初期臨床ステージにある RNA 医薬品の開発進捗に伴い、導出活動を積極化している。

※1 人工的に製造した mRNA を生体に投与し、mRNA にコードされたタンパク質を体内で発現させることにより疾患の予防もしくは治療を行う医薬品。
※2 mRNA、siRNA、ASO（アンチセンス・オリゴ核酸）など、様々な RNA（Ribonucleic acid：リボ核酸）を利用した核酸医薬。RNA は、DNA の遺伝情報を一時的に処理する働きを担う重要な生体分子。

1. 初期臨床段階にあるパイプラインの進捗状況

重点開発品である TUG1 ASO（対象疾患：膠芽腫）は医師主導第 1 相臨床試験が進行中、RUNX1 mRNA（対象疾患：変形性膝関節症）は第 1 相臨床試験準備段階にあり、いずれも順調に進捗している。同社は臨床試験の加速化を図り、後期臨床試験前のライセンスアウト（ライセンス供与、ライセンス導出）を目指す方針だ。TUG1 ASO については、既に国内外の学会及び商業カンファレンスにおいて紹介するなど、製薬企業への導出活動を活発化している。

2. mRNA 医薬の成長領域へシフト

mRNA 医薬品市場は、現在、感染症に対する免疫ワクチンや、遺伝性疾患、組織再生などを標的とする第 1 世代の開発が先行している。これらは、標的遺伝子の配列情報が判明すれば容易に mRNA を設計できる点が特徴である。これらに続く新たな第 2 世代のm RNA 医薬として、mRNA エンコード抗体、ゲノム編集、in vivo CAR-T ※など、ほかの Modality（創薬における手段やアプローチ）と融合した新たな領域への展開が欧米で進みつつあり、市場は 2030 年に向け高成長が期待されている。同社も、第 2 世代 mRNA 医薬を次のターゲットと定め、技術基盤を有するパートナーと共同し、革新的な第 2 世代 mRNA 医薬をパイプラインに加えつつある。

※ キメラ抗原受容体遺伝子を投与し、体内（In vivo）で CAR-T 細胞を生成・活性化させる治療法。体外で CAR 遺伝子を導入した T 細胞を培養・増幅してから患者に戻す従来の CAR-T 療法とは異なり、遺伝子導入と細胞増殖を体内で完結させる点が特徴。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

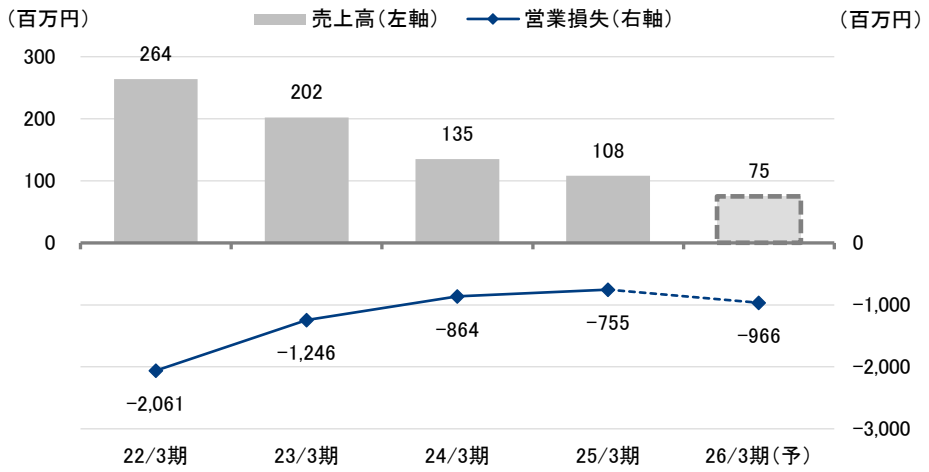
3. ステージアップした研究開発戦略及び成長戦略

同社は、2023 年に mRNA 創薬を中心とするビジネスに転換し、mRNA 医薬の創製を目指した IPG モデルの確立を図る成長戦略「NANO MRNA1.0」を推進してきた。そして 2025 年から、これを「NANO MRNA2.0」へと進化させ、新たな取り組みを開始している。「NANO MRNA2.0」は、次の 4 つの重点項目から構成されている。1）TUG1 ASO 及び RUNX1 mRNA の POC 確立を加速する。2）臨床 POC が確立した独自 DDS 製剤の GMP 製造体制をパートナーと協力して確立することにより価値を最大化する。3）mRNA 医薬パイプラインを協業により第 2 世代へシフトする。4）開発経験豊富ながん領域への再注力し RNA 医薬パイプラインを創出する。

Key Points

- 重点開発品の TUG1 ASO、RUNX1 mRNA の初期臨床試験は順調に進展。新たに mRNA 医薬の受託研究型事業を開始
- 高成長が見込まれる第 2 世代 mRNA 医薬へシフト
- 2025 年より成長戦略「NANO MRNA2.0」を開始。4 つの重点項目を推進し成長目指す

業績推移



注：22/3 期までは非連結、23/3 期より連結決算
出所：決算説明会資料、決算短信よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

会社概要

RNA 医薬と DDS 技術に強みを持つ創薬ベンチャー

1. 会社沿革

同社は、ナノキャリア（株）として 1996 年に設立されたベンチャーである。低分子抗がん剤の DDS 製剤の実用化を目指して、2000 年から本格的に研究活動を開始し、2008 年 3 月には東京証券取引所マザーズ市場への株式上場を果たした。しかし、2022 年に収益化が期待された導入品及び自社開発品の後期臨床開発が相次いで中止となり、同社はビジネスモデルの再構築を迫られた。

2023 年 1 月、同社は、2020 年に吸収合併した核酸創薬に特化したアキュルナのパイプラインを基に、メッセンジャー RNA（mRNA）医薬の創薬を中心に据えたベンチャー企業として、新たな事業方針への転換を打ち出した。国内では mRNA 医薬の創薬経験を持つ企業が限られており、同社はこの分野に経営資源を集中させる戦略を採用した。この新たなビジネスモデルは、治験段階の中でも投資リスクが高い後期臨床試験（第 II 臨床試験以降）には踏み込まず、非臨床段階で創出した候補品に関する IP（特許を含む研究開発に関する知的財産）を他社にライセンス供与することで収益化を図る「IP Generator（知財創出）型」の事業モデルである。同社は、mRNA 創薬における mRNA 配列の最適化、薬効評価などの創薬初期段階から、事業開発までを一貫して実施する事業を開始した。同年 6 月には NANO MRNA（株）へと商号を変更し、事業転換を明確に打ち出した。さらに同年 11 月には花王 <4452> との間で mRNA 医薬の創薬に関する共同研究を皮切りに、mRNA 創薬領域における事業展開を本格化した。また、RNA 医薬の創薬における成長戦略も一段と加速させている。先行する ASO（アンチセンスオリゴ核酸）医薬の第 1 相臨床治験が進展しており、独自の核酸 DDS 技術の価値最大化を図る。2025 年からは、IP のみならず開発アセットとして導出するモデルへ転換し、収益の多様化を目指す。

2. 事業概要

同社は以前より自社 DDS 技術を活用した核酸医薬の創薬を推進しており、既に siRNA（核酸創薬の一種）及び ASO の RNA 医薬に関する国内臨床試験実施に加え、mRNA 医薬の臨床試験開始に向けた準備を進めている。国内では mRNA を用いた治療薬の開発を手掛けている企業は少数であり、同社はその中で先行する企業の 1 つとして、mRNA 医薬を事業の中核に据えている。

現在、同社の mRNA 医薬パイプラインの中核は RUNX1 mRNA である。これはワクチンではなく、治療薬として mRNA を応用した開発プロジェクトである。変形性膝関節症を対象とする組織再生医薬として、第 I 相臨床試験の開始に向けた活動を推進しており、2025 年 7 月にオーストラリアで治験開始のための申請を実施した。同社は、（独）医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）対応及び CMC 関連（製造・品質管理）の mRNA 医薬開発に重要なノウハウをグローバルで着実に積み上げている。

また、mRNA 医薬を様々なパートナーとの協業により展開する方針を掲げ、mRNA 医薬技術とほかの最新の創薬技術を融合した第 2 世代 mRNA 医薬についての取り組みも開始しており、mRNA 医薬のパイプラインは第 2 世代のものに速やかにシフトするとしている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

3. 特徴と強み

同社は、COVID-19 ワクチンの実用化を契機に注目が高まった mRNA 医薬の市場が、2030 年には 16 兆円規模に拡大するとの予測があるなか、ワクチン以外の mRNA 治療薬は未だ上市がないという現状を踏まえ、早期参入による優位性を見込み、ビジネスモデルの転換を図った。その背景には、核酸医薬に特化した創薬ベンチャーであったアキュルナを 2020 年 9 月に吸収合併したことで、mRNA を含む核酸医薬のパイプラインを獲得したことが大きい。

アキュルナは 2016 年から mRNA の研究に取り組み、国内では数少ない mRNA 医薬の開発を進めていた企業で、吸収合併時には開発候補品の PRDM14 siRNA や TUG1 ASO に加え、RUNX1 mRNA を保有していた。国内で mRNA 治療薬の臨床開発を進めた事例はまだほとんどなく、同社が蓄えてきた知見は今後の事業展開において明確な強みとなる。

同社の競争優位性（強み）のコアは、創業研究者の一人である東京大学名誉教授片岡一則（かたおかかずのり）博士が発見した高分子ナノミセルや核酸 DDS の技術である。これに加え、後期臨床ステージまでの医薬品開発の実績とそれを通じて培った DDS 製剤の開発・製造などの経験、RNA 医薬の国内パイオニアとして蓄積した創薬及び臨床開発に関するノウハウなどの強みを持つ。具体的には以下のとおりである。

・DDS 製剤の豊富な開発実績（非臨床、臨床、CMC を含む）
・siRNA や ASO、mRNA といった核酸創薬に関する知見
・RNA 医薬の臨床開発における規制当局対応、承認申請の経験及びその課題解決力

開発パイプラインの動向

重点開発品 2 件は着実に進展。新たに 3 テーマをパイプラインに追加

重点開発品である TUG1 ASO（対象疾患：膠芽腫）は第 1 相臨床試験が進行中、RUNX1 mRNA（対象疾患：変形性膝関節症）については第 1 相臨床試験段階にあり、開発が順調に進捗している。同社は、2030 年に向けた成長を見据え、mRNA 医薬の世界的な技術革新と市場競争を踏まえた新たな事業領域への展開を図る。このため、2026 年 3 月期を成長戦略「NANO MRNA2.0」の起点と位置付け、RNA 創薬事業の拡大を目指す。重点項目であるがん領域への再注力の一環として、研究開発パイプライン改革に着手し、新規 3 テーマをパイプラインに追加した。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

（1）TUG1 ASO（膠芽腫）

TUG1 は、がん細胞の増殖ストレスを緩和する働きを持つたんぱく質に翻訳されない長鎖非翻訳 RNA であり、脳腫瘍の中でも悪性度の高い膠芽腫に多く発現していることが知られている。TUG1 ASO は、TUG1 に対する ASO であり、TUG1 の働きを阻害することで、がん細胞に複製ストレスを蓄積させ、細胞死へと誘導する。

TUG1 ASO の医師主導第 I 相試験は 2024 年 2 月に、安全性・忍容性及び有効な投与量を検討することを目的に開始した。被験者への投与量は段階的に 4 段階まで増量する計画であり、すでに最終段階に到達している。患者登録は累計 12 名で、これまでに重篤な副作用は報告されていない一方で、長期投与例が確認されている。患者登録は 2025 年度に完了する見込みである。

ライセンスアウトに向けた取り組みも進行しており、2025 年は国内外の学会やビジネスイベントへの参加を通じて、技術発表や情報発信を積極的に展開している。京都（2 月）、上海（4 月）、ボストン（6 月）、シンガポール（10 月）などで開催されるイベントに参加し、候補品の認知向上と事業化の機会創出に努めている。なお、TUG1 ASO と同様に、TUG1 ASO で使用している YBC ポリマーを用いる DDS プラットフォームについても、TUG1 ASO とともに事業化の機会創出に努めている。

今後の臨床試験の予定は、2026 年までは第 I 相臨床試験経過を継続的にフォローし、2027 年には他社主導（導出に至った場合）、あるいは自社主導での第 II 相臨床試験への移行を目指している。

（2）RUNX1 mRNA（変形性膝関節症）

RUNX1 mRNA は、ヒト転写因子 RUNX1 の mRNA を膝関節腔内に直接投与することで、損傷した軟骨の再生を促進する新しいタイプの変形性膝関節症治療薬である。子会社（株）PrimRNA が、第 I 相臨床試験完了までの開発資金を（国研）日本医療研究開発機構（以下、AMED）から得て、研究開発を進めている。

臨床試験は当初、国内での実施を計画していたが、PMDA との臨床試験に関する協議が長期化したため、2025 年 3 月に AMED から実施国をオーストラリアに変更する承認を得た。既にオーストラリアでの治験実施施設や CRO（医薬品開発業務受託機関）は選定済みで、治験関連文書の作成も完了し、2025 年 7 月に倫理委員会（HREC）へ治験開始に向けた審査申請を提出した。

（3）mRNA（眼科）

千寿製薬（株）との共同研究により進めている mRNA 技術を応用した眼科疾患治療薬の開発は、順調に進んでいる。同社は今回のパイプライン見直しにおいて、開発順位の 3 番目に引き上げ、優先的に取り組むべき mRNA 医薬プロジェクトと新たに位置付けた。

（4）mRNA（免疫寛容）

花王との共同研究テーマであるアレルギー疾患向け mRNA 医薬は、花王が持つ免疫制御技術を応用している。同社は 2025 年中に、最新の競合状況や技術的優位性を踏まえ、免疫制御技術の免疫寛容領域における競争優位性を総合的に評価し、開発候補品としての採否を判断する予定である。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

（5）新規テーマ

TUG1 ASO（膠芽腫）及び PRDM14 siRNA（乳がん）の臨床試験により、同社の独自 DDS 技術である YBC ポリマーの臨床における有用性が確認された。この結果を踏まえ、YBC ポリマーを共通の基盤技術とする後続プロジェクトとして、TUG1ASO successor 及び PRDM14 siRNA successor の 2 件の研究開発を開始した。3 件目は mRNA とゲノム編集と融合した遺伝子転座を有するがんを対象とするプロジェクトである。なお、パートナーは非開示となっている。

i）TUG1 ASO successor（固形がん）

従来の TUG1 ASO は膠芽腫を適応対象としているが、新たに始動した次世代の TUG1 ASO successor プロジェクトでは膵臓がん、卵巣がん、膀胱がんなど膠芽腫以外の固形がんへの適用拡大を目指している。TUG1 ASO 同様に名古屋大学の近藤豊（こんどうゆたか）氏と共同研究として進めている。

ii）PRDM14 siRNA successor（固形がん）

PRDM14 siRNA（第 1 世代）は治験を終了した。PRDM14 siRNA の開発者である金沢大学がん進展制御研究所の谷口博昭（たにぐちひろあき）氏は、AMED による次世代治療・診断のための創薬基盤技術開発事業の支援を受け、新たに PRDM14 siRNA successor（第 2 世代）の研究を継続しており、同社も分担機関として参画している。

業績動向

研究開発投資の強化による将来的な成長基盤を構築

1. 2025 年 3 月期の業績概要

2025 年 3 月期の連結業績は、売上高が 108 百万円、営業損失が 755 百万円、経常損失が 687 百万円、親会社株主に帰属する当期純損失が 835 百万円となった。化粧品材料供給、受託研究事業及び抗体譲渡による収入があった。営業外収益・営業外費用・特別損失の主な要因としては、研究開発等に係る補助金収入 41 百万円、外国為替相場の変動による為替差損 4 百万円、投資有価証券評価損（減損処理）144 百万円が挙げられる。なお、一般的にコストがかかるとされる臨床開発費用については、AMED を通じた公的資金などの活用により、自己資金からの負担を回避しながら開発を推進している。基本的には、使用した研究開発費用の一部が翌年に補助金として営業外収入に計上されている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2025 年 3 月連結業績

（単位：百万円）

	24/3 期 実績	25/3 期 実績	前期比 増減額
売上高	135	108	-27
売上原価、販管費	999	863	-136
研究開発費	647	422	-225
営業損失	-864	-755	109
営業外収益 /（費用）ネット	114	67	-47
経常損失	-749	-687	62
親会社株主に帰属する当期純損失	-780	-835	-55

出所：決算説明会資料、決算短信よりフィスコ作成

2. 2026 年 3 月期の業績見通し

2026 年 3 月期の連結業績見通しは、売上高 75 百万円、営業損失 966 百万円、経常損失 856 百万円、親会社株主に帰属する当期純損失 860 百万円としている。現時点においては、売上は化粧品原料供給による収入のみとしており、そのほかの要因における収入が発生した場合は都度計上する方針である。また、研究開発の 2026 年 3 月期重点施策は、1）TUG1 ASO 及び RUNX1 mRNA などの臨床試験の加速化、2）mRNA シーズの探索によるパイプライン拡充、3）DDS プラットフォーム技術の核酸創薬への応用・戦略提携であり、研究開発費は 649 百万円（前期は 422 百万円）を見込んでいる。

2026 年 3 月期連結業績予想

（単位：百万円）

	25/3 期 実績	26/3 期 予想	前期比 増減額
売上高	108	75	-33
売上原価、販管費	863	1041	177
研究開発費	422	649	226
営業損失	-755	-966	-210
経常損失	-687	-856	-168
親会社株主に帰属する当期純損失	-835	-860	-25

出所：決算説明会資料、決算短信よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

成長戦略とビジネスモデル

高成長が見込まれる第 2 世代 mRNA 医薬領域へシフト

1. 研究開発の方向性

（1）RNA 医薬品動向

医薬分野における 2024 年の主なライセンス契約 51 件のうち、約半分が初期開発段階（探索・非臨床試験）のプロジェクトで占められている。これは、企業が将来性のある候補を早期に獲得しようとする「青田買い」の傾向が続いていることを示唆している。

モダリティ（医薬品の種類）別では、mRNA 関連が 3 件、核酸医薬が 2 件と、核酸領域のライセンスが一定数確認され、同社が展開する mRNA 創薬領域において、世界的にライセンス活動が活発に行われている状況が窺える。

直近では mRNA、siRNA、ASO など計 13 の RNA 医薬品が新たに承認された。このうち ASO に関しては、DDS を利用した製品が 2 剤承認されている。これまで ASO 製剤は、DDS を伴わない市販品が主流だったが、状況に変化が見られる。今後の ASO 開発において DDS の活用がより重要になる可能性がある。

（2）DDS 技術の進化と核酸医薬へのシフト

片岡一則博士に由来する DDS 技術は、前身のナノキャリアにおいて開発してきた複数の DDS 抗がん剤の臨床開発は、いずれもは既に終了している。これらの製剤は、ナノミセル製剤と呼ばれる親水性のポリエチレングリコール（PEG）と疎水性のポリアミノ酸からなるポリマーを活用した製剤であった。

その後、2020 年 9 月 1 日付でアキュルナを吸収合併したことにより、アキュルナが保有していた siRNA、ASO 及び mRNA のポリマー DDS 技術を引き継いだ。この技術も片岡博士の研究成果に由来し、ナノキャリアの技術との連続性を有するものである。

現在、TUG1 ASO や PRDM14 siRNA に適用されている DDS 技術は、従来のナノミセルとは異なるユニットポリイオン複合体（Unit polyion complex）と呼ばれるものである。これは分岐鎖ポリエチレングリコール（Y-shaped PEG）を用いた YBC ポリマーで構成されており、薬物動態の改善やがん組織への浸透性向上が確認されている。同社の DDS 技術が、従来のナノミセル型 DDS から複合体型 DDS へと技術的に進展していることを示している。

このように、同社はナノキャリアから現在に至る変遷のなかで、形を変えながら DDS 技術を継承し、現在の siRNA 医薬、ASO 医薬及び mRNA 医薬の研究開発へ発展させている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2. mRNA 医薬の成長領域へのステップアップ

mRNA 医薬市場は現在、大きく 2 つの領域に分けられる。第 1 世代 mRNA は、新型コロナウイルス感染症などの予防ワクチン、遺伝性疾患、組織再生などが中心である。この領域では、ファイザー <PFE> やモデルナ <MRNA> といった世界的な大手製薬メーカーが市場シェアを占めており、特に感染症ワクチン領域では新規ベンチャー企業の参入余地は少なくなっている。

第 2 世代 mRNA とされる新領域には、mRNA エンコード抗体、ゲノム編集、in vivo CAR-T といった革新的な治療領域が含まれる。mRNA 技術とさまざまな先進技術を組み合わせることで、高付加価値な医薬品の創出を目指す領域であり、2030 年に向けて高い成長が期待されている。世界の mRNA 医薬関連企業は、こうした分野への基礎研究や研究開発投資を積極化させている。たとえば、米国の in vivo CAR-T 細胞治療分野では mRNA を用いて体内で CAR-T 細胞を誘導する新たな治療法の研究が進んでおり、約 30 社の企業が競っている。一方、日本企業の研究活動は限定的であり、現時点では後れを取っている状況にある。

このような状況のなか、同社は独自の DDS プラットフォームを基盤に第 2 世代 mRNA 医薬への本格参入を加速しており、既に複数の製薬企業やアカデミアとの共同研究及び評価プロジェクトを進めている。

3. RNA 医薬の開発と第 2 世代 mRNA への本格的参入に向けた新成長戦略「NANO MRAN2.0」

同社は、2023 年に mRNA 創薬を中心に据えたビジネスに転換し、新しい治療技術 mRNA 医薬の創製を目指した IPG モデルの確立を図る成長戦略「NANO MRNA1.0」を推進してきた。そして 2025 年から、これを「NANO MRNA2.0」へと進化させ取り組みを開始している。

NANO MRNA2.0 は、次の 4 つの重点項目から構成されている。1）TUG1 ASO 及び RUNX1 mRNA の POC 確立を加速する。2）臨床 POC が確立した独自 DDS 製剤の GMP 製造体制をパートナーと協力して確立することにより価値を最大化する。3）mRNA 医薬パイプラインを協業により第 2 世代へシフトする。4）開発経験豊富ながん領域への再注力し、RNA 医薬パイプラインを創出する。

これまで述べてきたとおり、独自の核酸 DDS 製剤を活用した RNA 医薬の臨床開発は順調に進捗しており、DDS 製剤の価値が高まっている。これに伴い、DDS 技術の基盤として活用される YBC ポリマーの大量供給体制が整備されたことは重要な進展である。従来、GMP 基準に準拠した製造能力の制限が課題であったが、製造委託先の供給量増強について見通しが示され、供給体制における制約が解消されることになった。この結果、DDS プラットフォームへのアクセスが容易になり、協業や、PRDM14 siRNA 及び TUG1 ASO の successor などのがん領域を中心とした RNA 医薬への再注力を通じて、パイプラインの拡充とともに、DDS プラットフォームそのものの価値の向上も期待される。

第 2 世代 mRNA では、先進的な創薬技術との融合のため製薬企業やアカデミアなどとの連携が不可欠となる。同社はすでに複数の共同研究プロジェクトを進めており、将来的には第 3 世代、第 4 世代の mRNA 医薬へと、段階的に技術進化が続くものと見込んでいる。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

従来の戦略からの転換と新たな収益源により、事業の安定化と成長目指す

4. 開発戦略の見直し及び収益モデルの再構築

同社はこれまで、新たな mRNA 医薬について、臨床開発段階に入る前に製薬企業へのライセンスアウトを行う方針を掲げてきた。しかし、感染症予防ワクチンとは異なる mRNA 治療薬の開発を進めるなかで、特に CMC における課題が極めて大きいことが明らかとなり、mRNA 医薬の事業化には、一定水準以上の技術を保有するパートナーとの協力体制構築が必要であることを再認識した。

このため、同社は今後の研究開発戦略を次のとおり見直した。既に開発段階にある RNA 医薬の開発を積極的に推進するとともに、がん領域へ再注力しながら核酸医薬 DDS プラットフォームを活用する方針である。RNA 医薬の創出については、非臨床段階で多数のライセンスアウトを目指す従来型の方針から転換する。今後は、有望な先端創薬技術を保有する企業やアカデミアと共同して新たな領域でのプロジェクトを創出し、一部については初期臨床試験段階（他社との提携または自社主導）まで自社で進めるなど、より柔軟で実行可能性の高い戦略へと移行する考えである。

収益モデルについては、これまで以上に臨床開発に向けた医薬品候補に関するアセットを充実させて製薬企業へ導出することとし、各案件の成功確度を重視する方針に転換する。非臨床段階での導出が困難なケースも想定し、初期臨床試験段階までの開発継続も視野に入れる。導出時のアセットには、特許 / ノウハウ（CMC・非臨床）/ Dossier（規制当局への提出書類一式）を含む IP に加え、核酸、ポリマー原薬及びこれらからなる製剤などの物質が含まれる。

また、新たな収益源として、2024 年顧客からのニーズにこたえる形で mRNA 医薬の受託研究型事業を新たに開始した。この事業では、製薬企業やアカデミアからの依頼を受け、mRNA 設計から非臨床・臨床開発に至るプロセス全体の研究開発を請け負う。1 案件当たりの想定収益は、数千万から数億円程度を見込んでいる。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

FISCO

重要事項（ディスクレーマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したものですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受け、企業から報酬を受け取って作成されています。本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■
〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3
株式会社フィスコ
電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）
メールアドレス：support@fisco.co.jp