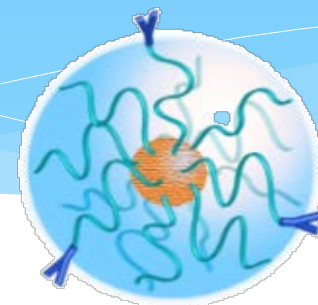


公益社団法人日本証券アナリスト協会主催

# ナノキャリア株式会社

## 平成27年3月期第2四半期 決算説明会

平成26年11月13日



# ナノキャリアの目指すもの

グローバル製薬企業を目指し、  
患者さんのQOL (Quality of Life) 向上を目標に、  
日本発技術を基に革新的医薬品の開発を推進しています

## MISSION

ミセル化ナノ粒子技術を用いて革新的な医薬品を創出し、  
人々の健康とQOLの向上に貢献します

## VISION

イノベーションファーマとして、世の中に必要とされる  
「ファーストワン」を目指します

平成27年3月期第2四半期

決算概要および通期見通し  
並びに  
事業概況報告

# 第2四半期累計損益の結果

(単位:百万円)	売上高	売上原価、 販売費及び 一般管理費	営業損失	経常損失	第2四半期累計 純損失	うち (研究開発費)	うち (為替差益)
2014年3月期 第2四半期累計	325	826	(501)	(436)	(437)	490	71
2015年3月期 第2四半期累計	311	818	(507)	(149)	(151)	423	346
増(減)	(14)	(8)	(6)	287	286	(67)	275

## 売上高

マイルストーン・フィーの減少を治験薬及び化粧品原料の出荷増でカバーするも若干及ばず、前期比14百万円減少の311百万円となる

## 原価及び 販管費

増加要因： 人員増加に伴う人件費増加、移転関係費用の発生  
減少要因： 研究開発費の減少  
合計額では、前期比8百万円減少の818百万円となる

## 営業外収益

円安ドル高の急速な進行に伴う外貨建て預金に係る為替差益の発生

## 第2四半期累計 純損失

円安ドル高の急速な進行に伴う為替差益の発生等により、前期比286百万円改善の▲151百万円となる

# 通期業績予想の見直し

(単位:百万円)	売上高	売上原価、 販売費及び 一般管理費	営業損失	経常損失	当期純損失	うち (研究開発費)	うち (為替差益)
2014年3月期 (実績)	472	1,595	(1,123)	(1,094)	(1,113)	926	225
2015年3月期 (期初計画)-(A)	330	2,285	(1,955)	(1,929)	(1,970)	1,599	0
2015年3月期 (今回見直し)-(B)	560	1,988	(1,428)	(1,029)	(1,070)	1,271	373
差異 (B)-(A)	230	(297)	527	900	900	(328)	373

## 通期業績予想 の見直し

- 改善要因 1: 治験薬及び化粧品原材料の売上の増加
  - 改善要因 2: 臨床試験や研究所移転にかかる費用の削減
  - 改善要因 3: 外貨預金にかかる為替差益の発生
- 等の要因により、当期純損失は、900百万円改善の▲1,070百万円を見込む

# 今期の取り組み

## 1. 自社開発品のグローバル開発推進による 製品価値の向上

- 各パイプラインの臨床試験が順調に進捗

## 2. ADCM、核酸ミセル(NanoFect®)の研究開発推進 新規開発パイプラインの拡充 アライアンスパートナーの確保

- 新薬候補E7974をエーザイから導入
- 米国の学会等で発表開始
- 製薬企業との交渉推進中

## 3. 新たな化粧品分野での事業化推進

- 増量タイプを発売(アルビオン)
- 育毛剤事業化に向けて開発推進

# 今期の取り組み状況

## 1. 自社開発品のグローバル開発推進による 製品価値の向上

- 各パイプラインの臨床試験が順調に進捗
- 提携先との共同研究を推進
- 知財権利化の推進

# パイプラインの進捗状況

品目	対象疾患	ステージ	地域		状況	上市目標	適応拡大計画	開発形態/企業
NC-6004 シスプラチンミセル	膵がん	P III	アジア	台湾	投与中 (2014.2~)	2018年度予定	頭頸部がん <b>2015年前半 IND予定</b>	共同開発 Orient Europharma (OEP)
				シンガポール	投与中			
				香港	投与中			
韓国				IND承認				
			中国	IND準備中				
	肺がん	P I b/II	米国		投与中 (2014.5~)	2020年度予定		自社開発
	固形がん	P I	日本		投与中 (2012.10~)	2020年度予定	膵がん 肺がん 頭頸部がん	自社開発
NC-4016 ダハプラチンミセル	固形がん	P I	米国		投与中 (2013.12~)	2024年度予定	大腸がん (日、米、欧)	自社開発
NC-6300/K-912 エピルビシンミセル	固形がん	P I	日本		投与中 (2013.9~)	2024年度予定	乳がん (日、米、欧)	共同開発 興和
NK105 パクリタキセルミセル	乳がん	P III	日本・アジア		投与中 (2012.7~)	非公開	胃がん	ライセンス 日本化薬

色:

共同開発

自社開発

ライセンスアウト

赤字表記:2014年度の進捗



# パイプラインの特許状況・市場性

	開発品目	ステージ	開発形態	特許期間 <sup>2,3</sup>	市場性 <sup>4</sup> (億円)
当社最重要パイプライン	NC-6004 シスプラチンミセル	ASIA PIII USA PIIb/II JAPAN PI	OEP <sup>1</sup> 社との共同開発  自社開発  自社開発	2029年	オキザリプラチン(エロキサチン他) 2,272 (2007)  ゲムシタピン(ジェムザール他) 1,720 (2008)  カルボプラチン(パラプラチン他) 905 (2003)
	NC-4016 ダハプラチンミセル (オキザリプラチンの活性本体)	USA PI	自社開発	2026年	オキザリプラチン(エロキサチン他) 2,272 (2007)
	NC-6300/K912 エピルピシンミセル	Japan PI	興和株式会社 との共同開発	2027年	ドセタキセル(タキソテール他) 3,039 (2009) パクリタキセル(タキソール他) 1,593 (2000) パクリタキセルDDS製剤(アブラキサン) 1,780 (2018) ドキシソルピシンDDS製剤(ドキシル他) 669 (2010)
	ADCM 抗体/薬物結合型ミセル	基礎研究	自社開発	2029年	カドサイラ 2,700 (2018)
導出品	NK105 パクリタキセルミセル	JAPAN PIII ASIA	日本化薬株式会社に導出	2024年	ドセタキセル(タキソテール他) 3,039 (2009) パクリタキセル(タキソール他) 1,593 (2000) パクリタキセルDDS製剤(アブラキサン) 1,780 (2018)

注: <sup>1</sup> OEP: Orient Europharma Co., Ltd.

<sup>2</sup> 薬事承認後数年間(承認を取得した地域により異なる)の期間延長が可能

<sup>3</sup> 特許によるエクスクルーシビティが実質的に確保される期間を記載

<sup>4</sup> 類似剤のピーク時年間世界売上高 (EvaluatePharma推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す 1 \$ = 100円)

# 当社最重要パイプラインの開発計画

## NC-6004

PIII

対象疾患：膵がん  
試験地域：アジア  
予定例数：約300例  
終了予定：2017年度

PIb/II

対象疾患：非小細胞肺癌  
試験地域：米国  
予定例数：約80例  
終了予定：2017年度

PI

対象疾患：固形がん  
試験地域：日本  
予定例数：約20例  
終了予定：2014年度

## NC-4016

PI

対象疾患：固形がん  
試験地域：米国  
予定例数：約20例  
終了予定：2014年度

## NC-6300

PI

対象疾患：固形がん  
試験地域：日本  
予定例数：約20例  
終了予定：2014年度

## 台湾政府 新たな産業振興のためのガイドラインを公表

2012年8月31日

### 台湾の国内企業が新薬の研究開発を行う場合の優遇策

- 医薬品の早期承認取得
- 薬価の優遇
- 様々な規制をできる限り緩和し、援助策を講じる

日本政府(厚労省・PMDA)および台湾政府(TFDA)

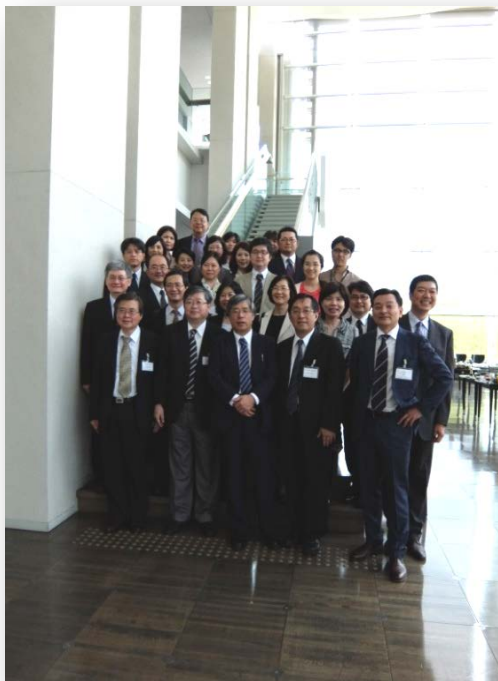
## 医薬品・医療機器の規制に関する共同シンポジウム開催

2013年12月23日 台湾にて 第1回日本-台湾医薬交流会議

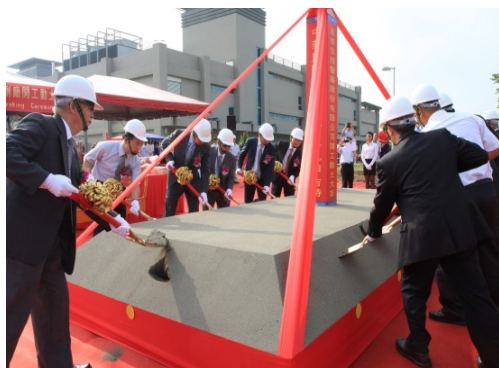
2014年10月31日 東京にて 第2回日本-台湾医薬交流会議

# NC-6004 台湾との取組み（2）

2014年5月  
台湾の臨床試験機関関係者が  
当社を視察(柏の葉)



2014年9月  
OPNano地鎮祭(台湾)



- 当社はOPNanoへ出資
- 日・米・欧の製造基準(GMP)を遵守した世界レベルの製剤製造工場を建設
- NC-6004の製造に関する技術移転を開始

2014年10月  
台湾FDAとの勉強会(東京)



- ミセル化プラチナ製剤に関する研究成果を発表
- 日欧でまとめたナノ粒子製剤に関するガイドラインを解説

# 知財権利化の推進

## 主要パイプラインにおける主要なIR

- 世界主要マーケットで権利化を推進
- 基礎研究において更なる知見を取得

## NC-6004 関連

2014.08.20:

NC-6004 ライフサイクルマネジメント特許 世界主要マーケット国での権利化成功

2014.07.14:

NC-6004に関する特許がオーストラリア国において特許査定を受ける

2014.06.26:

NC-6004に関する特許が台湾において特許査定を受ける

## NC-4016 関連

2014.09.10:

ダハプラチンミセルの転移がん治療の可能性を示す論文が発表

## NC-6300 関連

2014.07.16:

pH応答性ミセルに関する物質特許が韓国にて特許査定を受ける

# 転移がん治療の可能性

## 片岡研究室の研究成果

論文タイトル: Polymeric micelles loaded with platinum anticancer drugs target preangiogenic micrometastatic niches associated with inflammation

著者: H. Wu, H. Cabral, K. Toh, P. Mi, Y.-C. Chen, Y. Matsumoto, N. Yamada, X. Liu, H. Kinoh, Y. Miura, M. R. Kano, H. Nishihara, N. Nishiyama, K. Kataoka

J. Control. Release 189 1-10 (2014)

<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0168365914004179#>

- ダハプラチンミセル (DACHPt/m) による、固形がんから転移したがん「微小転移病巣」の治療に関する可能性について検証
- 新生血管形成前の転移病巣 (マウス結腸癌肝転移モデル) でも抗腫瘍効果を発揮することを確認
- ミセル化ナノ粒子を用いるがん治療によって、固形がんのみならず、初期の転移がんに対する治療、診断、予防などの可能性を示唆

「DACHPt(ダハプラチン)」を内包したミセル化ナノ粒子製剤NC-4016  
米国にて固形がんを対象に第I相臨床試験を実施中



NC-4016にとどまらず、当社の先行パイプラインおよび現在研究中のADCMなどにも当てはまるもので、ミセル化ナノ粒子の臨床効果について、新たな可能性を示唆

## 2. ADCM、核酸ミセル(NanoFect®)の研究開発推進 新規開発パイプラインの拡充 アライアンスパートナーの確保

- 新薬候補E7974をエーザイから導入
- 米国の学会等で発表開始
- 製薬企業との交渉推進中
- 新しい研究取組みを発表

# ADCからADCMへ

ADCでは実現しなかった  
抗体/薬物結合型医薬品の活用範囲が大きく広がる

## ADC

(Antibody Drug Conjugate)

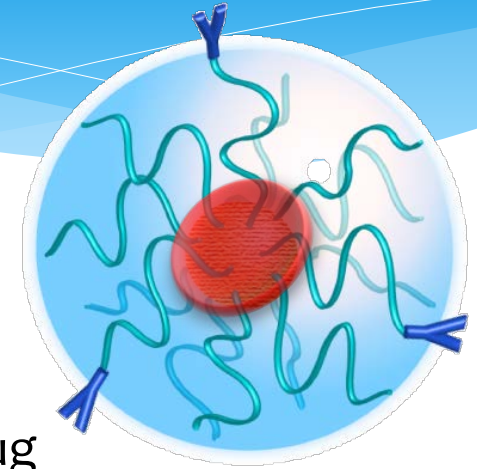


- ✓ 抗体に直接薬物を結合
- ✓ 抗体当たりの薬物量が少ない
- ✓ 殺細胞性が極めて高い薬物を利用
- ✓ 薬物/抗体の組み合わせが限られる

世界的に開発が進むが、  
発展性の余地は？

## ADCM

(Antibody/Drug  
Conjugated **Micelle**)



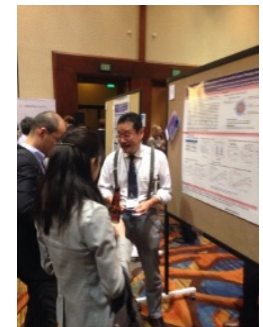
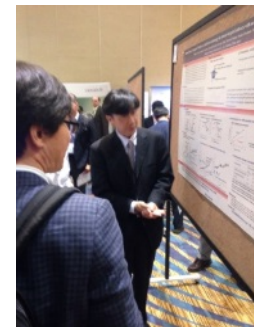
- 薬物のデリバリー量が非常に多い
- 薬物や抗体の選択性が非常に高い
- 将来的な発展性が高い技術



Optimize linker payload compatibility  
Improve preclinical predictability  
Maximize clinical efficacy

OCTOBER 26-29 2014 | San Diego

学会では、ADCが主流の医薬品研究分野で、これまでにない、  
効果的なADCMは、参加者から高い関心を集めました。  
各国企業とのコミュニケーションを深めています。





# 新薬候補E7974の導入

Antibody/Drug-Conjugated Micelle

2014年6月23日

エーザイ株式会社とのE7974に関するグローバル独占的ライセンス契約締結(エーザイによる買戻し権付き)

## 1、パイプラインの拡充を図る

開発が進む第1世代のパイプラインに続く、次世代を担うパイプラインを獲得  
開発ステージを上げ、より良い経済条件でライセンスアウトを見込む

## 2、自社開発により、ADCMの効率的な開発を推進

ADCMに関する臨床試験等の開発力を自社ノウハウとして蓄積

## 3、他社との共同研究開発に展開

ADCMの開発実績を蓄積し、バイオ・製薬企業とのアライアンスを加速

# ADCMで治療域拡大を実現

## Therapeutic indexes in the BxPC-3 pancreatic tumor model

## ADCM E7974 開発

Formulation	Dose (mg/kg)		Therapeutic index	Ratio to E7974
	ED <sub>50</sub>	MTD		
ADCM with cetuximab	0.2	2.5	12.5	<b>30</b>
Untargeted micelles	2.7	2.5	0.93	<b>2.3</b>
E7974	1.8	0.75	0.41	<b>1.0</b>

### E7974

チューブリン重合阻害剤

- ◆ ヘミアステリン(海洋由来天然物)の合成誘導体
- ◆ 既存のチューブリン重合阻害剤と異なる  
(チューブリンのα、βサブユニットの両方に結合)
- ◆ 多剤耐性腫瘍に対して効果を示す

ED<sub>50</sub>, dose required to inhibit tumor growth by 50% with weekly 3 injections, determined by a dose-dependent efficacy study.  
 MTD, determined with weekly 3 injections in healthy mice, defined as the maximum dose that caused no drug-related lethality.  
 Therapeutic index was determined by dividing MTD by ED<sub>50</sub>.

2014

2015

2016

2017

2018

2014.6 E7974導入契約

基礎研究

非臨床試験

臨床試験

物性評価  
性能評価  
製剤化検討  
製造方法検討

臨床試験開始に必要な試験および申請資料作成

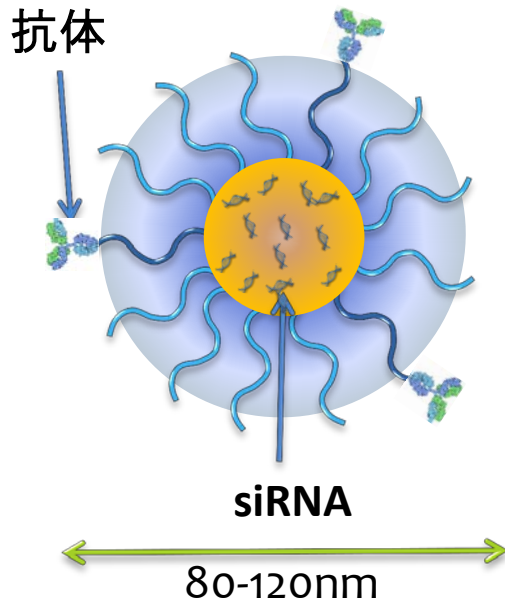
- GLP安全性試験
- 薬効、動態精査

Phase I~III  
国内、海外(欧米)

※PI~PII  
ライセンス活動を開始

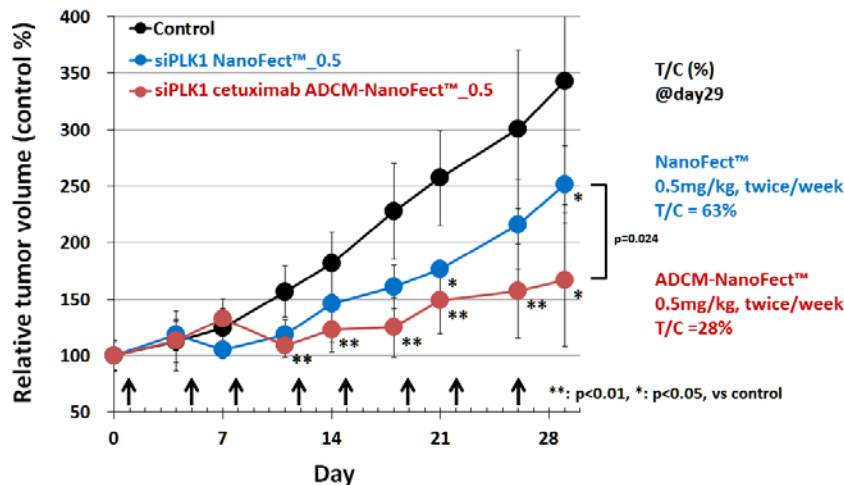
# Active型NanoFect™ siRNA(核酸医薬)

Active Targeting

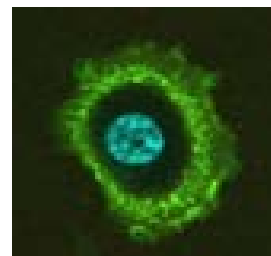


siRNAなどの核酸医薬は、体内へ投与されると速やかに分解されるため、効果を発揮するためにはキャリアシステムが必須。

- 標的細胞へターゲティング
- 標的細胞へ結合し、細胞内へ侵入
- 薬物を大量に放出

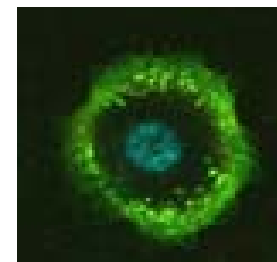


ターゲティング



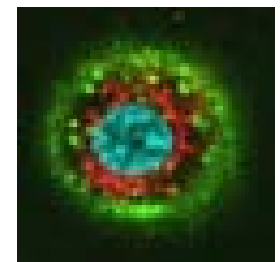
Active型NanoFectを細胞に添加すると抗体(緑)が細胞表面に結合

侵入



30分後、細胞がミセルがエンドサイトーシス(黄色)

放出



75分後、siRNA(赤色)がエンドソーム脱出し細胞質内に移行

# 基礎・応用研究関連の IR 情報

2014.10.31:

World ADC 2014で当社ADCM技術およびActive型 NanoFect™を発表

2014.10.09:

第11回日仏DDSシンポジウムで研究成果を発表

2014.08.11:

ゴードン会議(米国)で当社ADCM技術を発表

2014.06.23:

エーザイ株式会社との新規医薬品候補に関する独占的ライセンス契約締結

2014.06.03:

核酸デリバリー技術に関する物質特許が中国で特許査定を受ける

2014.05.19:

タンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が欧州で特許査定を受ける

# 新しいターゲットへのチャレンジ

川崎市殿町国家戦略拠点 産官学が連携した革新的オープンイノベーションを実現する  
「iCON:ものづくりナノ医療イノベーションセンター」

※平成27年に施設が完成予定

難治がんを標的化するナノマシンの開発

## ◆ 脳腫瘍へのターゲティングを狙う

片岡研究室での成果

生体内バリアを克服するナノ粒子医薬品

脳神経系難病の治療

血液－脳関門(BBB)を突破し、脳実質に到達する機能

Uchida S, Itaka K, Uchida H, Hayakawa K, Ogata T, et al. (2013)  
In Vivo Messenger RNA Introduction into the Central Nervous System Using  
Polyplex Nanomicelle. PLoS ONE 8(2): e56220.

## 3. 新たな化粧品分野での事業化推進

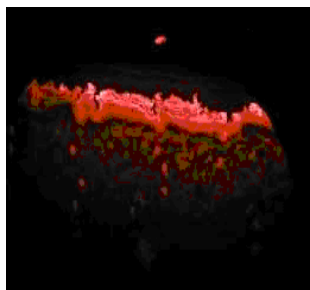
- 増量タイプを発売(アルビオン)
- 育毛剤事業化に向けて開発推進

# 新規事業 化粧品へ活用

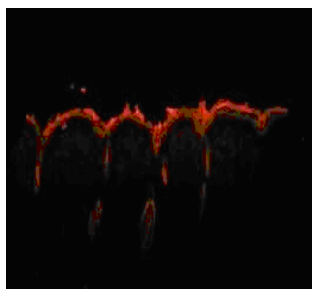
研究開発の応用範囲を広げ、  
同時に早期製品化を実現

## 自社開発

ミセル化ナノ粒子



コントロール



## ALBION 共同開発

### 化粧品

「アルビオン」  
との共同開発  
(2012年7月～)

「エクラフチュール」

2013年10月18日  
発売開始

**大ヒット!**

発売から約1年  
売上本数: 56万本



さらに

増量タイプ発売開始  
2014年10月18日

40mL	10,000円(税抜き)
60mL	14,000円(税抜き)
レフィル	13,500円(税抜き)

ロングセラー商品として位置づけ

- ◆ 順調な原料供給が実現
- ◆ 収益源として基盤を構築

# 化粧品 海外展開

## アルビオン社による海外展開

台湾	2014年 1月1日
シンガポール	2014年 7月1日
香港	2014年 11月1日

Takashimaya Singapore  
SOGO Hong Kong





# ありがとうございました



本資料で記述している業績予想は、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。

お問い合わせ先  
ナノキャリア株式会社 社長室  
電話: 04-7197-7622 E-mail: [info@nanocarrier.co.jp](mailto:info@nanocarrier.co.jp)

参考資料

平成27年3月期

第2四半期決算概要  
および  
通期見通しについて



# 第2四半期累計 損益計算書

(単位:百万円)	2013年 4-9月期 (A)	2014年 4-9月期 (B)	増(減) (B)-(A)	
売上高	325	311	(14)	マイルストーン・フィーの減少を治験薬及び化粧品原料出荷増で補うも若干及ばず
売上原価、 販売費及び一般管理費	826	818	(8)	増加:人件費増、移転関係費用発生 減少:研究開発費減
営業損失	(501)	(507)	(6)	合計では若干の減少
営業外収益/(費用)----(注)	65	358	293	円安ドル高の急速な進行による為替差益の発生
経常損失	(436)	(149)	287	
第2四半期累計純損失	<b>(437)</b>	<b>(151)</b>	<b>286</b>	為替差益等により、前期比286百万円改善の▲151百万円
(注)---うち為替差益	71	346	275	

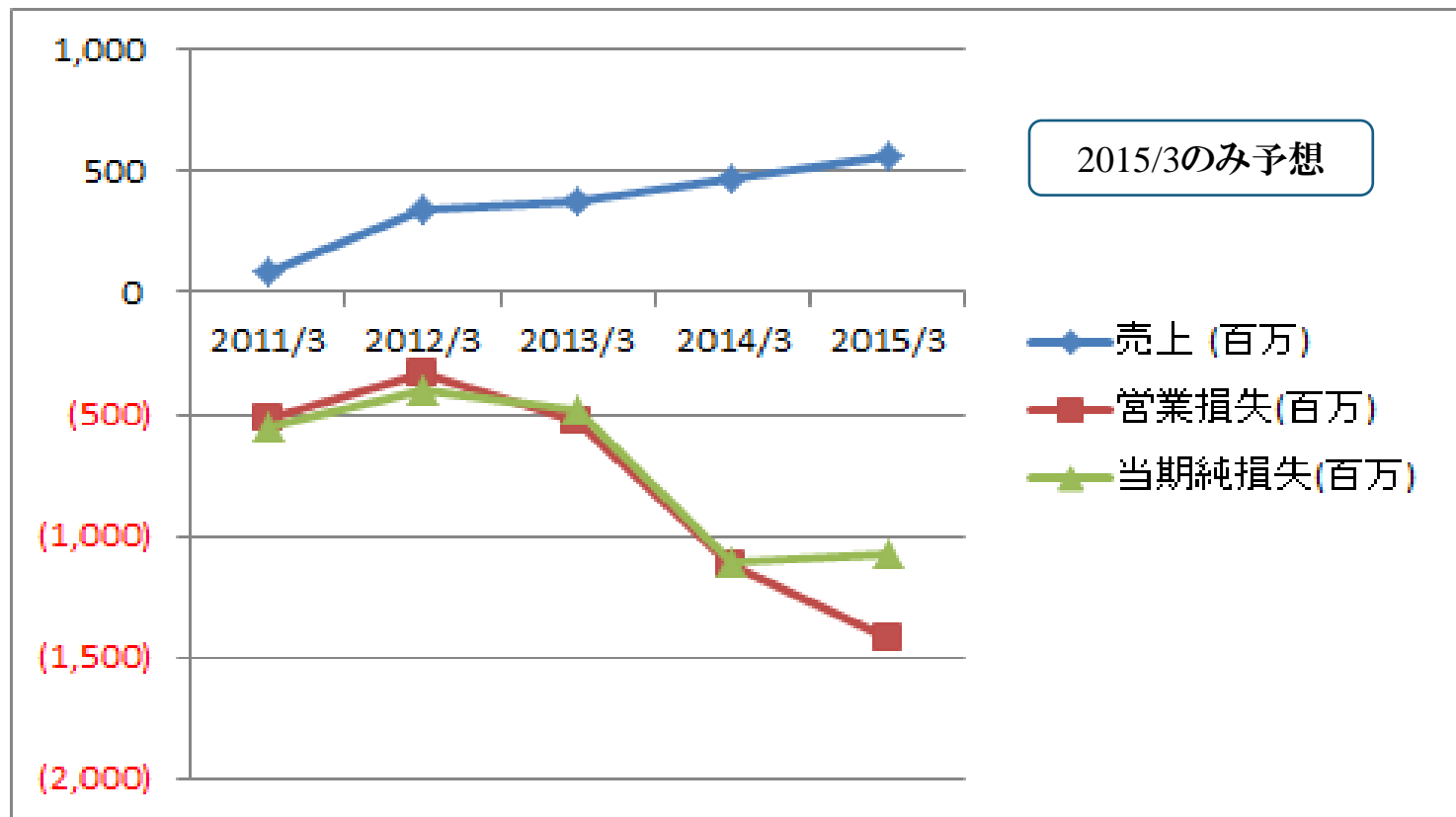
# 第2四半期末 貸借対照表

(単位:百万円)	2013年 3月 (A)	2014年 3月 (B)	2014年 9月 (C)	増(減) (C)-(B)
現金預金及びMMF	5,155	13,747	13,365	(382)
その他流動資産	318	341	355	14
固定資産 (長期性預金を除く)	133	252	451	199
<b>資産合計</b>	<b>5,606</b>	<b>14,340</b>	<b>14,171</b>	<b>(169)</b>
転換社債型新株予約権付社債	1,040	540	540	0
その他負債	166	203	150	(53)
<b>純資産</b>	<b>4,400</b>	<b>13,597</b>	<b>13,481</b>	<b>(116)</b>
資本金及び資本剰余金	10,143	20,467	20,471	4
利益剰余金	(5,791)	(6,905)	(7,056)	(151)
その他有価証券評価差額金	0	1	5	4
新株予約権	48	34	61	27
<b>負債・純資産合計</b>	<b>5,606</b>	<b>14,340</b>	<b>14,171</b>	<b>(169)</b>

グローバル・オファリングの成功による手許流動性の積み増しにより財務基盤も大幅に強化され、臨床開発及び基礎研究に専念できる経営管理体制が整う。

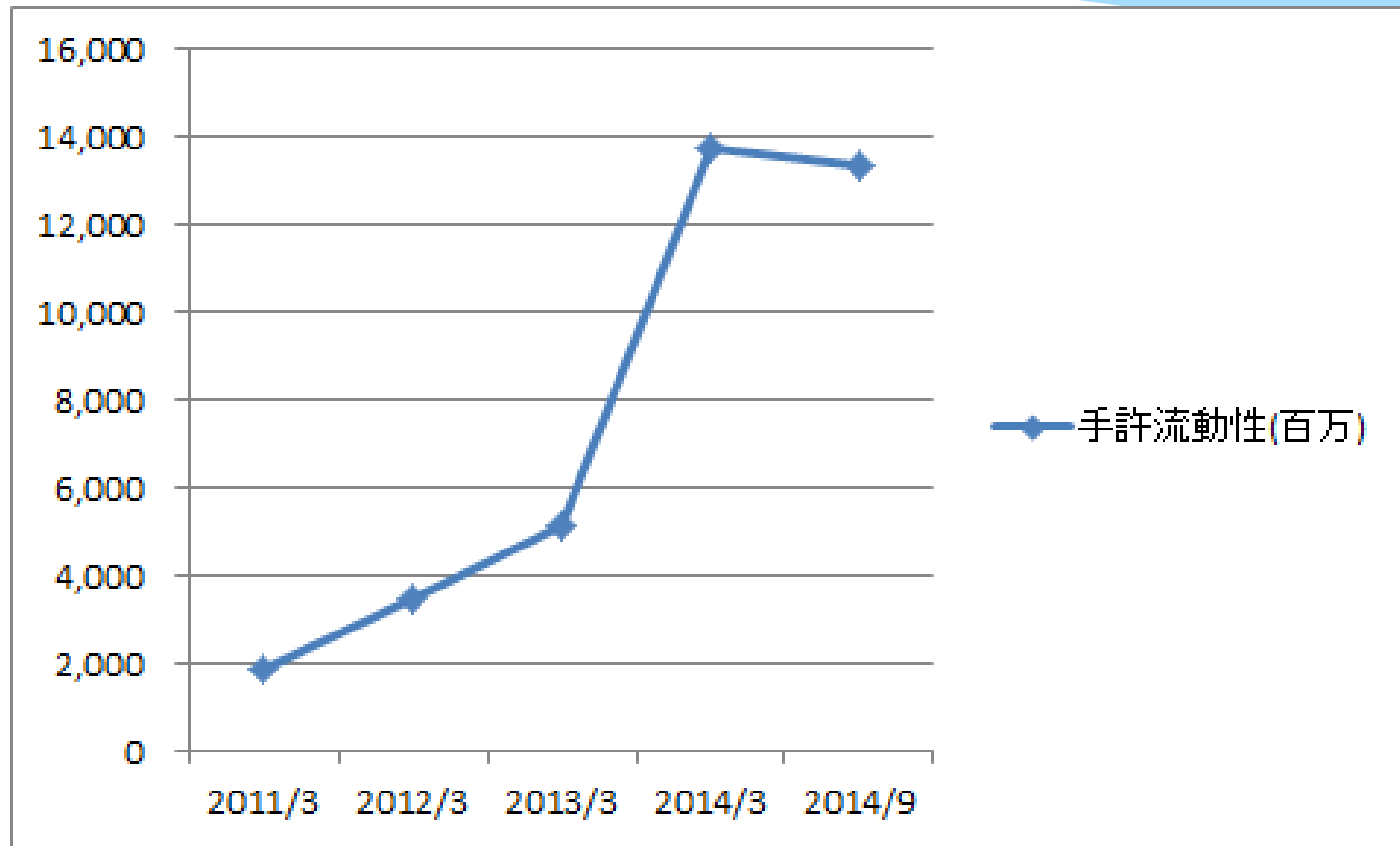
移転に伴う建物付属設備及び研究用機械装置の増加

# 売上高及び純損益の推移



	2011/3	2012/3	2013/3	2014/3	2015/3 (予想)
売上(百万)	84	346	373	472	560
営業損失(百万)	(519)	(333)	(526)	(1,123)	(1,428)
当期純損失(百万)	(555)	(398)	(484)	(1,114)	(1,070)

# 手許流動性の推移 (現金・預金及びMMF)



	2011/3	2012/3	2013/3	2014/3	2014/9
手許流動性(百万)	1,872	3,481	5,155	13,747	13,365

当初発表の当期純損失▲1,970百万円に対して、  
900百万円改善の▲1,070百万円を見込んでおります。

- **売上増による利益増 ⇒ 154百万円**
  - ✓ 売上は230百万円増加の560百万円を見込む
    - OEP向けNC-6004治験薬の出荷量の増加
    - アルビオン販売の高級美容液エクラフチュールの原料であるナノセスタの出荷量の増加
- **研究開発費の減少 ⇒ 328百万円**
  - ✓ 臨床試験の進捗は予定通りだが、支出額は当初想定額を下回る
- **販売費及び一般管理費の減少 ⇒ 45百万円**
  - ✓ 移転関係支出が当初想定額を下回る
- **為替差益 ⇒ 373百万円**
  - ✓ 外貨預金にかかる為替差益の発生
  - ✓ ドル/円レートは110円を想定

# 平成27年3月期 通期業績予想の見直し

