



LEADING-EDGE NANOTECHNOLOGY

# ナノキャリア株式会社

東証マザーズ 4571

## 平成27年3月期 決算説明会

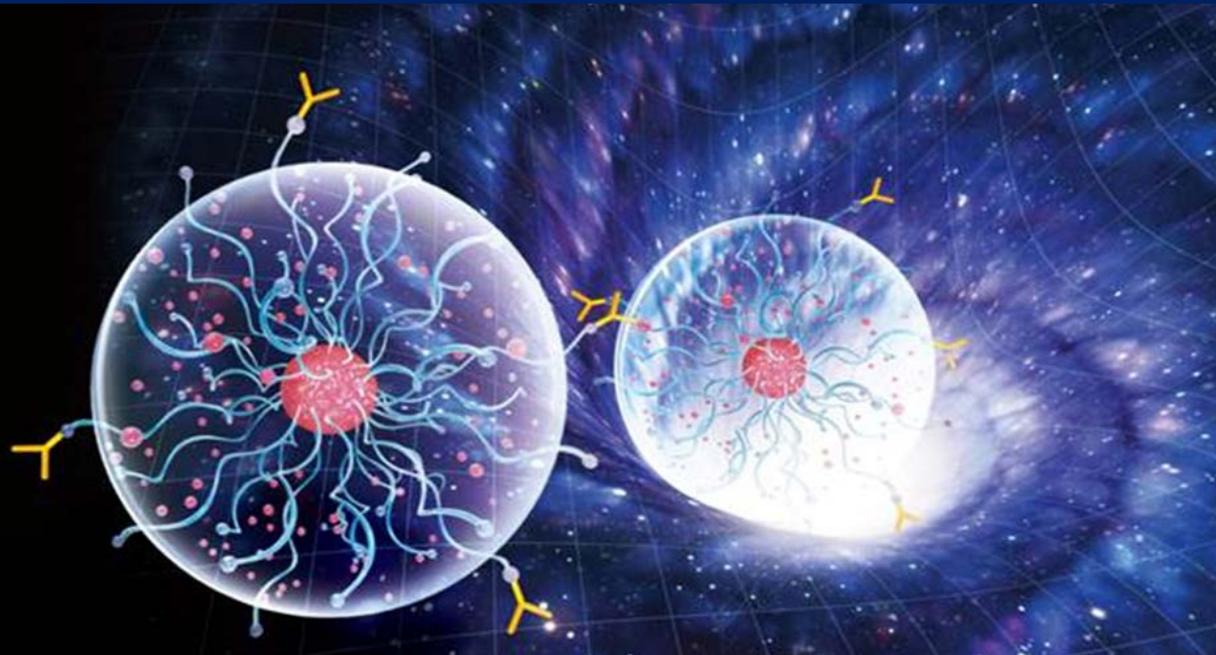
平成27年5月15日(金)

### 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を向上

### VISION

世の中に必要とされる  
「ファーストワン」



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  
グローバル製薬企業を目指します

拠点

【本社・研究所】

千葉県柏市若柴226番地39  
中央144街区15

【東京オフィス】

東京都中央区京橋一丁目4番10号  
大野屋京橋ビル 4F

【川崎iCONMラボ】 ※7月稼働予定

神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-14  
ものづくりナノ医療イノベーションセンター (iCONM)

# 2015年3月期の取り組み

## 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

⇒ 次ステージに向けた準備を開始

## 2. ADCM (Antibody/Drug-Conjugated Micelle)と核酸ミセル (Active型NanoFect®)の研究開発推進

### 新規パイプラインの創出

⇒ ADCMの非臨床開発(E7974)

### アライアンスパートナーの確保

⇒ 中外製薬とsiRNA医薬品の共同研究開始

## 3. 化粧品分野での新たな事業化推進

⇒ 化粧品事業部を創設

育毛剤の開発を推進

# 2015年3月期 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) 利益	当期 (純損失)純利益	うち (研究開発費)
2014年3月期	472	1,595	(1,123)	(1,094)	(1,113)	926
2015年3月期	675	1,784	(1,108)	(171)	(207)	1,053
増(減)	203	189	15	923	906	127

## 売上高

- 治験薬及び化粧品原料の売上の増加

## 原価及び 販管費

- 人員増加に伴う人件費の増加
- 移転関係費用の発生
- 基礎研究開発費用(ADCM等)及び臨床試験費用(NC-6004)の増加

## 営業外収益

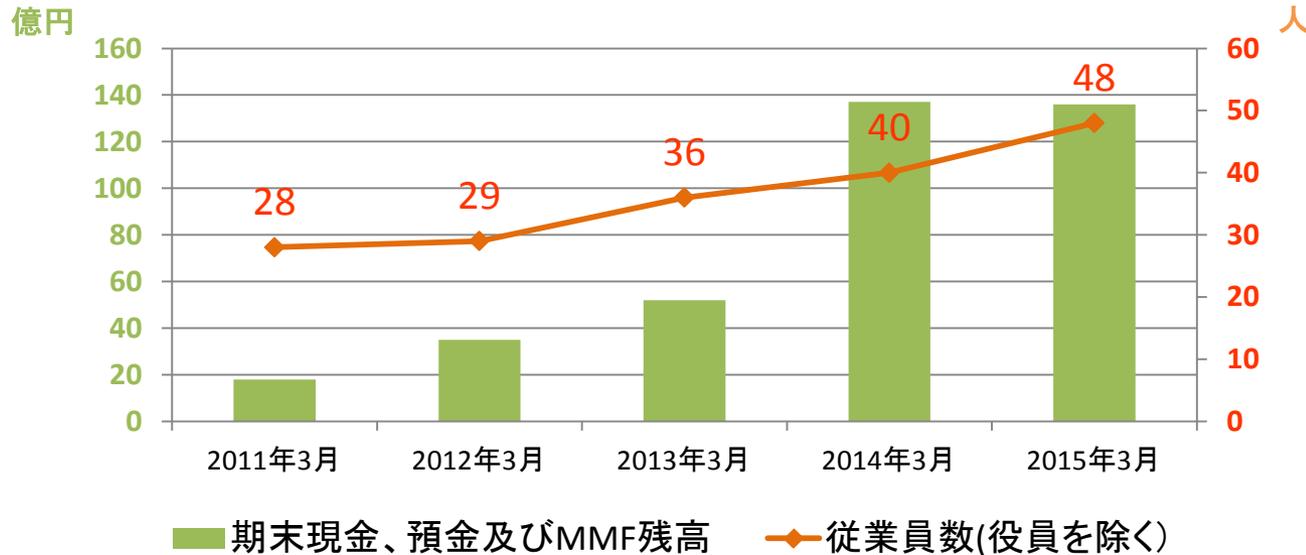
- ドル高/円安の進行に伴う外貨預金に係る為替差益の発生

## 当期純損失

- 費用の増加を売上の増加でカバーし、「営業損失」は前期とほぼ同じの▲1,108百万円
- 急速なドル高に伴う為替差益の発生等により、「当期純損失」は前期比906百万円改善の▲207百万円

# 事業基盤の強化

自社にて確実な開発を自社にて行える体制を確保  
人材と財務基盤の強化



2012年より、自社開発を推進。以降、自社開発を着実に推進できる基盤を構築。製品の付加価値を高めた画期的新薬としてライセンスを狙う。

(百万円)	2011年3月期	2012年3月期	2013年3月期	2014年3月期	2015年3月期
売上高	84	346	373	472	675
当期純損失	555	398	484	1,113	207
現/預金(含長期)及びMMF	1,872	3,481	5,155	13,747	13,771

# 2016年3月期 業績予想

(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)
2015年3月期の実績	675	1,784	(1,108)	(171)	(207)	1,053
2016年3月期の予想	137	2,803	(2,666)	(2,617)	(2,772)	2,202
差異 (B)-(A)	(538)	1,019	(1,558)	(2,446)	(2,565)	1,149

## 今期活動 の ポイント

### ➤ 売上はアルビオン向けナノセスタ:

- ✓ 現時点では、治験薬の出荷や現在交渉中の共同研究や事業提携等の成果に伴う収入を含めていない

### ➤ 次世代パイプライン候補の開発の加速:

- ✓ 抗体結合型E7974含有ミセル化製剤 (高活性低分子医薬品候補のリプロファイル)
- ✓ 抗体結合型siRNA含有ミセル化製剤 (中外との共同研究の推進)

### ➤ 臨床試験の戦略的な見直しと展開:

- ✓ 早期承認の可能性の高い適応症の臨床試験を追加し、治験期間の短縮と承認確率の向上を目指す

### ➤ 化粧品事業の展開:

- ✓ エクラフェール用ナノセスタの安定供給体制の確立
- ✓ アルビオンとの育毛関連製品の共同開発の推進と商品化の実現

# 開発パイプライン

2015年5月13日時点

品目	対象疾患	ステージ	地域		状況	開発形態/企業
NC-6004 シスプラチンミセル	膵がん	第Ⅲ相 臨床試験	アジア	台湾	患者投与中 (2014.2～)	共同開発 Orient Europharma (OEP)
				シンガポール	患者投与中	
				香港	患者投与中	
				韓国	患者投与中	
NC-6004 シスプラチンミセル	肺がん	第Ⅰb/Ⅱ相 臨床試験	米国		患者投与中 (2014.5～)	自社開発
	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	日本		患者投与完了 生存調査継続中	自社開発
NC-4016 ダハプラチンミセル	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	米国		患者投与中 (2013.12～)	自社開発
NC-6300/K-912 エピルビシンミセル	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	日本		患者投与中 (2013.9～)	共同開発 興和
NK105 パクリタキセルミセル	乳がん	第Ⅲ相 臨床試験	日本・アジア		平成27年度 NDA申請を予定※	ライセンス 日本化薬

※平成27年5月12日に对外発表された日本化薬(株)の資料から

色:

共同開発

自社開発

ライセンスアウト

# 開発パイプライン

2015年5月13日時点

品目	対象疾患	ステージ	地域		状況	開発形態/企業
NC-6004 シスプラチンミセル	膵がん	第Ⅲ相 臨床試験	アジア	台湾	患者投与中 (2014.2～)	共同開発 Orient Europharma (OEP)
				シンガポール	患者投与中	
				香港	患者投与中	
				韓国	患者投与中	
NC-6004 シスプラチンミセル	肺がん	第Ⅰb/Ⅱ相 臨床試験	米国		米国での自社開発 早期承認を見据え、新たな 試験を準備中	自社開発
	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	日本			自社開発
NC-4016 ダハプラチンミセル	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	米国			自社開発
NC-6300/K-912 エピルビシンミセル	固形がん	第Ⅰ相 臨床試験	日本		患者投与中 (2013.9～)	共同開発 興和
NK105 パクリタキセルミセル	乳がん	第Ⅲ相 臨床試験	日本・アジア		平成27年度 NDA申請を予定※	ライセンス 日本化薬

※平成27年5月12日に对外発表された日本化薬(株)の資料から

色:

共同開発

自社開発

ライセンスアウト

# NC-6004 米国：早期承認取得への戦略

## Basket Design 試験を採用

- 複数がん種を対象にPOCおよび承認取得を加速
- 成功確率を向上
- NC-6004の付加価値を高める臨床データパッケージ

### 【従来のデザイン】

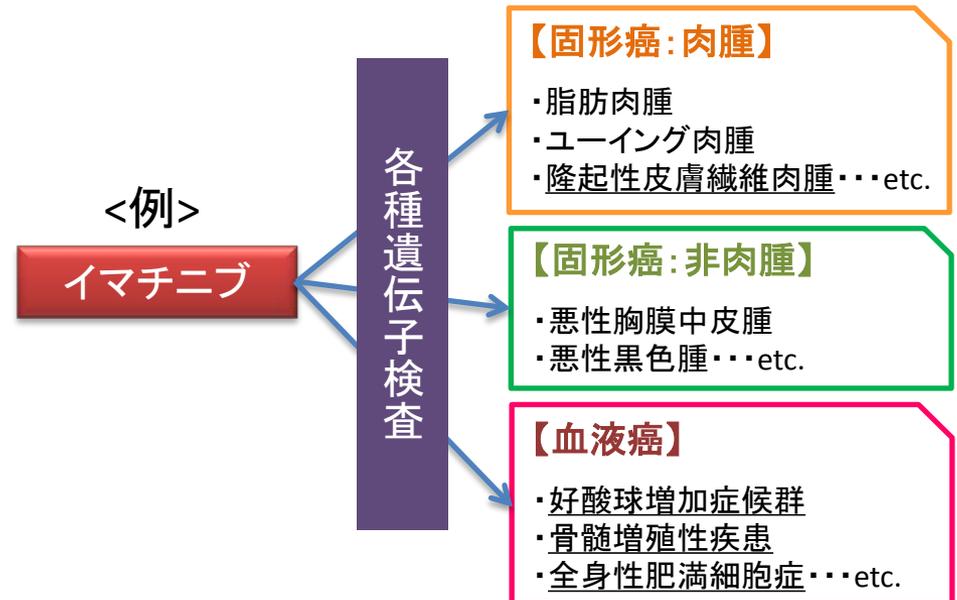
1つの適応症を対象に臨床試験を実施し、有効性・安全性を検討



最初の適応症でPOC取得後に、他癌種へ拡大

### 【Basket design trial】

複数の適応症を対象に臨床試験を実施し、有効性・安全性を幅広く検討



## <現状>

- 標準的なPhase I 試験で安全性と忍容性を確認中
- MTD まで複数ステップの増量が必要
- 現時点の用量では安全性上の懸念なし

## <加速化策>

- 現時点の用量を基準に併用の Phase I/II 試験
- 成功確率が高く早期承認が見込めるがん種が対象
- 現行の試験と並走

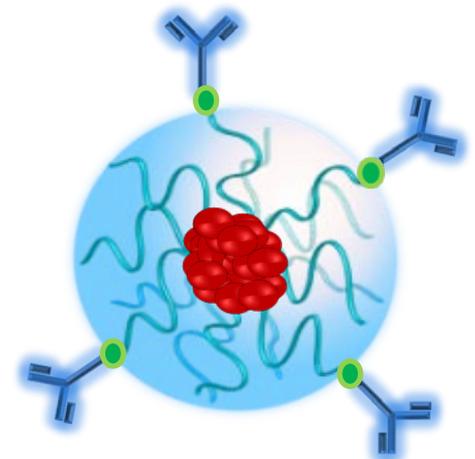
# ADCM (Antibody/Drug-Conjugated Micelle)

## ADC (Antibody-Drug Conjugate) の技術的制約から解放された 次世代型 Active Targeting システム ～ADCM～

	ADC	ADCM
Sensor	抗体のみ	低分子化合物、ペプチドから抗体まで選択可能
Drug	超高活性の薬物のみ(毒物)	活性のある薬物

### ADCMを用いたリプロファイル

- 既承認薬剤のライフサイクルマネジメント
- 開発中化合物の適応拡大、薬効増強
- 開発中断・中止化合物の復活
- 研究段階の化合物の研究加速



【例】エーザイ株式会社からの E7974 の導入  
他、提携先の拡大に向け交渉中

# ADCM化E7974の研究開発

2014年6月23日

エーザイ株式会社と「E7974」の開発・販売に関し、全世界を対象とする独占的ライセンス契約を締結

2年以内に 米国FDAへIND申請(予定)

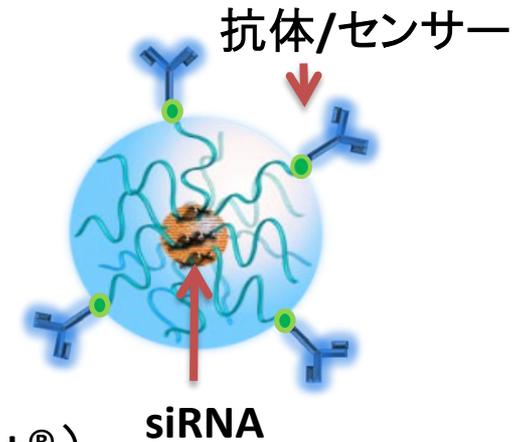


## ADCM化による Therapeutic Index の拡大

	ヒト膵がんモデル		ヒト乳がん耐性モデル	
	Therapeutic index		Therapeutic index	
E7974	0.41	(1.0)	0.67	(1.0)
ADCM	12.5	(30.0)	6.64	(9.9)

## NanoFect<sup>®</sup>

- 速やかにエンドソームから細胞質へ移動  
⇒ 効率よく標的遺伝子を抑制
- 組織分布を大幅に改善(肝、脾などへの集中を大きく低減)  
⇒ 特定の臓器のがんだけでなく、  
全ての固形がんが標的



## Active型NanoFect<sup>®</sup> (抗体搭載型 NanoFect<sup>®</sup>)

- 腫瘍選択性の高い抗体の搭載により  
抗腫瘍効果をさらに増強

# 中外製薬とのsiRNA医薬品の研究開発

## *challenge*

まだ実現していない  
siRNA 医薬品のがんターゲティングを狙う  
～新しい市場の創造～

**ファースト・イン・クラスの医薬品を創製する**

### 核酸医薬(上市品)

- Pegaptanib (Macugen<sup>®</sup>, Gilead Sciences, aptamer)  
漏出型加齢黄班症
- Mipomersen sodium (Kynamro<sup>®</sup>, ISIS Pharmaceuticals, antisense)  
ホモ接合型家族性高コレステロール血症
- Rintatolimod (Ampligen<sup>®</sup>, Hemispherx Biopharma, 2本鎖RNA)  
申請中:慢性疲労症候群

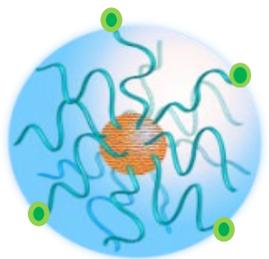
# 中外製薬とのsiRNA医薬品の研究開発

2015年2月24日

中外製薬の豊富な経験とナノキャリアのActive型NanoFect®技術を組み合わせることで画期的な医薬品を創製する

## 2社の主な役割

ナノキャリア



**Active型NanoFect®**

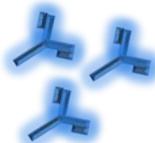
siRNAなど核酸医薬品を効率よくがん細胞選択的に届ける技術

中外製薬

siRNA医薬品候補



がん細胞特異的センサー(抗体医薬品など)

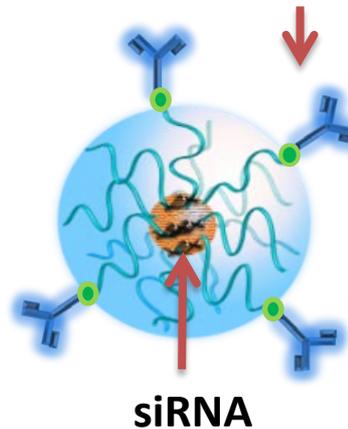


**抗体医薬など**

- ・抗体医薬品の国内リーディングカンパニー
- ・抗がん剤における豊富な経験

## 目的とする成果物

がん細胞特異的センサー



siRNA

ファースト・イン・クラスの医薬品

2年以内を目途に

ライセンス契約につなげる

# 化粧品事業

高級化粧品メーカーとの共同開発により  
化粧品技術としての実績を確立



2010年  
自社開発/販売  
e'clafutur-W 美容液



2013年  
ALBION共同開発/販売  
新生 e'clafutur



2014年  
海外展開(アジア)  
増量タイプ発売  
詰め替えタイプ発売

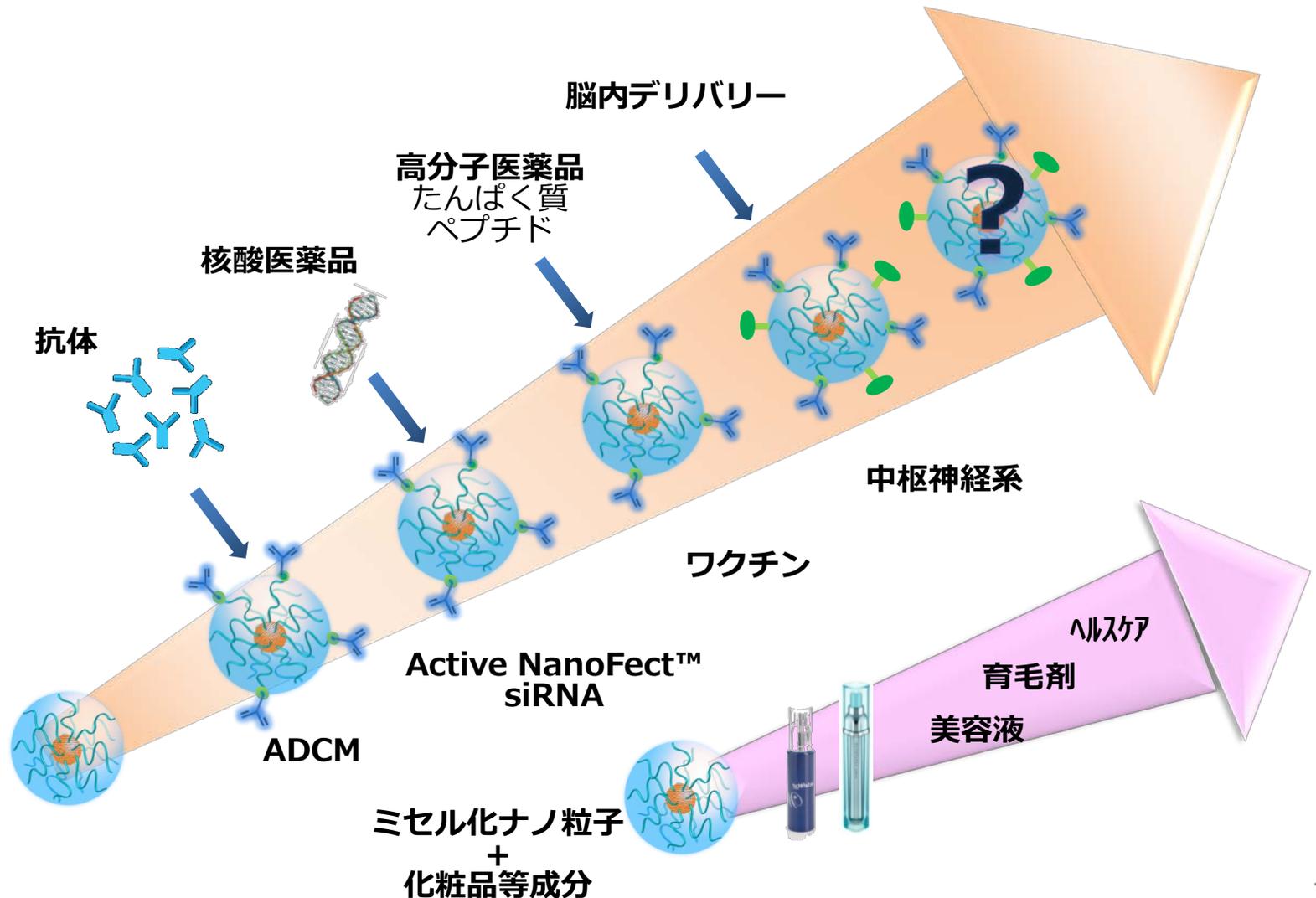
ヘルスケア領域での評価が高まる



- 契約先との商品群拡充(美白美容液・育毛剤等)
- 他企業での活用を視野に活動中

# ミセル化ナノ粒子の展開

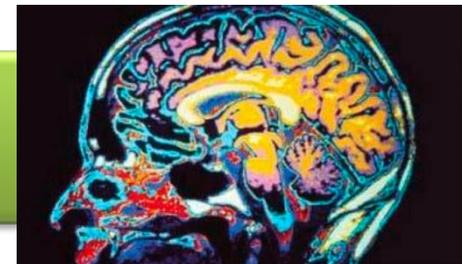
- ・ ミセル化ナノ粒子技術をActive Targeting機能を付加したADCMに進化
- ・ 研究開発の対象を低分子医薬に加え核酸など高分子医薬に広げ、適応疾患をがん以外に拡大



## テーマ1: 難治がんを標的化し駆逐できるナノマシン

ミセル化ナノ粒子抗がん剤の次なるステップとなる治療困難とされている  
脳腫瘍、転移がん、がん幹細胞などの難治癌を標的とするナノマシンを開発

### 脳内デリバリー技術の開発 第1弾: 脳腫瘍

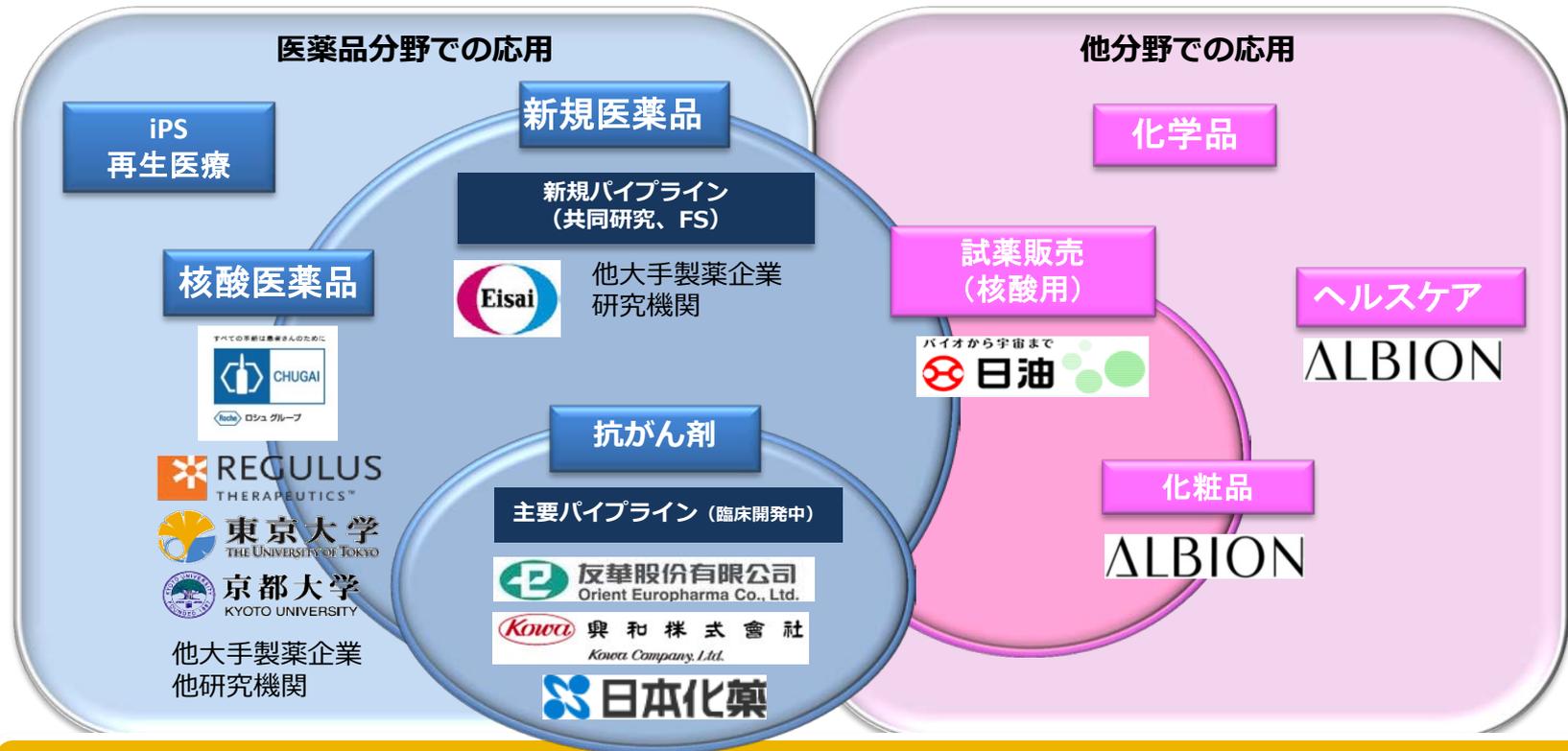


研究拠点: ものづくりナノ医療イノベーションセンター(iCONM)

産官学連携と、医学・工学/応用・基礎/企業間など  
様々な垣根を越えた人・技術の交流を実現する拠点

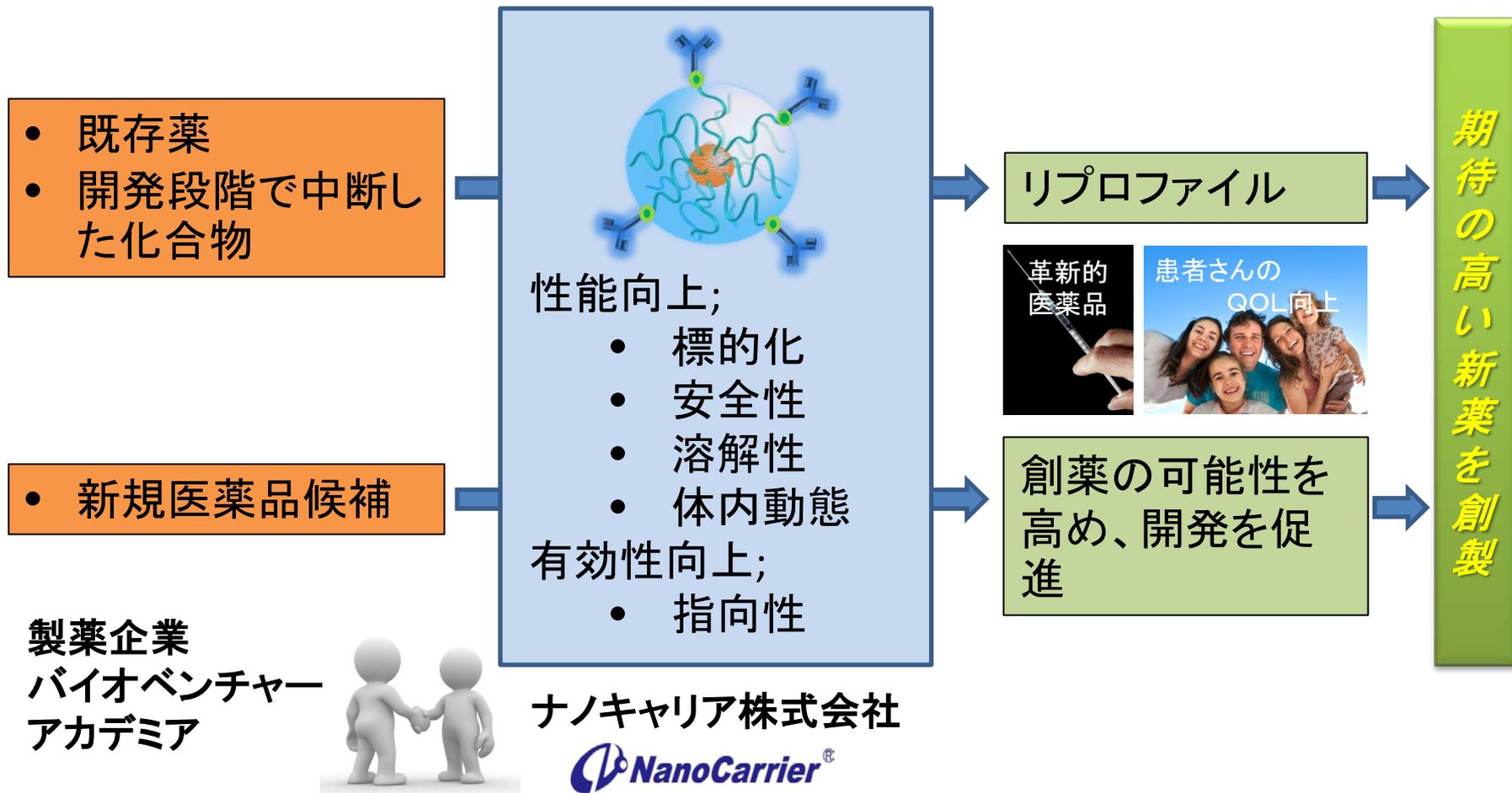
当社研究室は7月ごろ稼働を予定して、準備を開始しています

医薬品分野 : コア技術により医薬品候補の改良・最適化を進めパイプラインを拡充  
医薬品以外の分野 : 原材料の最適化・コストダウンを進めつつ応用範囲を拡大



# プラットフォーム技術を持つ価値

ミセル化ナノ粒子技術は、新規医薬品開発の可能性を高める新しい開発プロセスです。当社は、自社開発とともに、積極的な提携活動も推進し、新薬の開発を目指しています。



➤ ミセル化ナノ粒子はプラットフォーム技術であり、より多くの企業が利用し、各々が新薬になる当社独自の技術です。当社は戦略的に世界で知的財産権を取得しています。



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: 03-3241-0553 E-mail: [info@nanocarrier.co.jp](mailto:info@nanocarrier.co.jp)