

ナノテクノロジーの力で人々の健康とQOL向上に貢献する企業

ナノキャリア株式会社

東証マザーズ 4571

平成28年3月期 決算説明会



平成28年5月12日(木)

主催:公益社団法人 日本証券アナリスト協会

ナノキャリア株式会社

Mission

ナノテクノロジーを用いて新しい医薬品を創出し、人々の健康とQOL向上に貢献

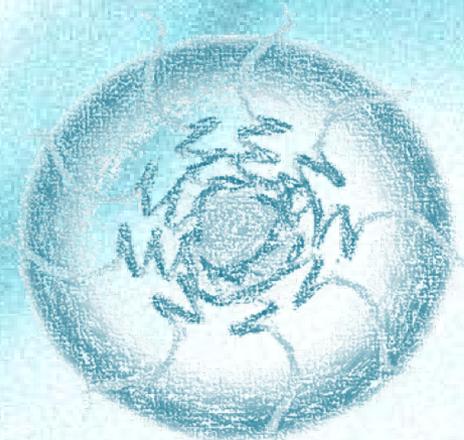
Vision

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」を目指す

独自のプラットフォームテクノロジーで
グローバル製薬企業を目指す

日本発のナノテクノロジーを基に、新しい医薬品を生み出し、従来の製剤では成し得なかった「副作用の軽減」と「薬効の増大」を目的としたQOL改善を目指した革新的な新薬の開発を推進します

代表取締役社長	: 中富一郎
設立	: 1996年6月14日
研究所開設	: 1999年10月
東証マザーズ上場	: 2008年3月5日
資本金	: 107億円
役職員数	: 60名



2015年度 ハイライト

1

開発スピード加速化、承認確率の向上

- 2015年6月 IND申請(国内PI 頭頸部がん)
- 2015年6月 IND申請(国内PIII 膵臓がん)
- 2015年7月 IND申請(米国PII 肺がん、胆道がん、膀胱がん)
- 2015年12月 IND申請(台湾PI 頭頸部がん)
- 2015年12月 IND申請(米国PI 頭頸部がん)

2

次世代型技術の創出、開発推進

- 2015年2月 アクティブ型のsiRNA抗がん剤開発に向けて
中外製薬との共同研究契約

3

化粧品分野の商品群拡充

- 2015年11月 育毛剤関連製品の販売に向けた
アルビオンとの共同事業契約
- 2016年3月 エクラフチュール第2弾へ向けた共同研究契約
- 2016年3月 Depth 発売

4

経営基盤の強化

- 2015年9月 約93億円の資金調達 M&A等

2016年3月期 当期(損)益の概況

(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) 利益	経常(損失) 利益	当期 (純損失) 純利益	うち 研究開発費	うち 為替差(損)益
2015年3月期の実績	675	1,784	(1,108)	(171)	(207)	1,053	919
2016年3月期の実績	243	2,326	(2,082)	(2,381)	(2,537)	1,832	(351)
増(減)	(432)	542	(974)	(2,210)	(2,330)	779	(1,270)

売上高

- ・ 治験薬の売上減少 400百万円
- ・ 化粧品関係売上減少 16百万円
- ・ 一時金関係収入減少 13百万円 など

原価及び 販管費

- ・ 研究開発費(NC-6004, ADCM等)の前期比増加 779百万円
- ・ 売上減少に伴う売上原価減少 180百万円
- ・ 移転関係費用等販管費減少 57百万円

営業外 収益/費用

- ・ 前期4-3月は、17.25円の円安による919百万円の為替差益の発生
- ・ 当期4-3月は、7.49円の円高による351百万円の為替差損の発生

当期純損失

売上の減少、研究・開発費用の増加、円高による為替差損の発生等の要因により、当期純損失は、前期比2,330百万円悪化の2,537百万円となる

2016年3月期 貸借対照表の概況

(単位:百万円)	現預金及び 運用債券等 (手許流動性)	資産合計	転換社債型 新株予約権付 社債	負債合計	資本金及び 資本剰余金	利益剰余金	純資産合計
2015年3月末の実績	13,771	14,704	0	202	21,518	(7,111)	14,501
2016年3月末の実績	14,426	15,386	3,000	3,257	21,531	(9,648)	12,128
増(減)	655	682	3,000	3,055	13	(2,537)	(2,373)

貸借対照表 の増減理由

- 当期純損失は2,537百万円であったが、転換社債型新株予約権付社債の発行より手許流動性は3,000百万円増加し、結果として、手許流動性は655百万円の増加となった

当期の ファイナンス の成果

- 転換社債型新株予約権付社債の発行 3,000百万円 (入金済み)
- 第14回新株予約権 (発行部分) 84百万円 (入金済み)
- 第14回新株予約権 (行使部分) 6,298百万円 (行使価格は1,140円ですが、現時点では予約権は全て未行使のため、手許資金とはなっていません)

2017年3月期 通期業績予想

(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	うち 為替差(損)益
2016年3月期の実績 (A)	243	2,326	(2,082)	(2,381)	(2,537)	1,832	(351)
2017年3月期の予想 (B)	182	3,634	(3,452)	(3,410)	(3,475)	2,806	0
差異 (B)-(A)	(61)	1,308	(1,370)	(1,029)	(938)	974	351

※努力目標としているライセンスアウト/共同研究/M&Aなどの成果につきましては、保守的な見地から、現時点において業績予想には織り込んでおりません。

研究・臨床開発/製品開発面:

- NC-6004: 日本を含むアジア地域における膀胱癌PIII試験の推進
米国におけるバスケット・デザイン方式によるPII試験の推進
日米アジアにおける頭頸部がんのPI試験の推進
- NC-6201: ADCM型E7974製剤の米国でのIND申請 / 治験開始
- NanoFect: siRNA医薬品に関する中外製薬との共同研究推進 と新ライセンス契約への移行
- 化粧品事業: 新エクラフチュールの研究開発の推進とその他の成分開発を推進

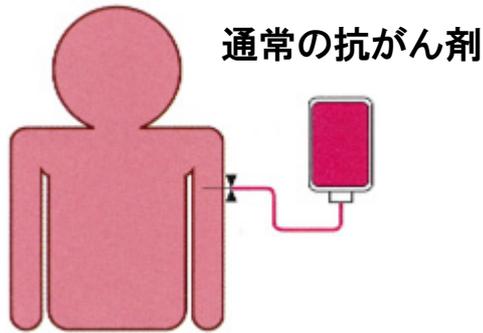
収益/事業開発面:

- エクラフチュール/エクシア用原料の安定供給、およびDepthの販売強化
- 事業提携/共同研究開発/ライセンスアウト等の新契約締結に向けた事業開発活動の強化

生活の質を改善する製剤技術

日本発のナノテクノロジー技術「ミセル化ナノ粒子」を用いて
医薬品の高付加価値化を図り、患者さんのQuality Of Lifeを改善

強い副作用/治療中断



体内にほぼ均一に分布

これまでの抗がん剤は患者さんの負担大

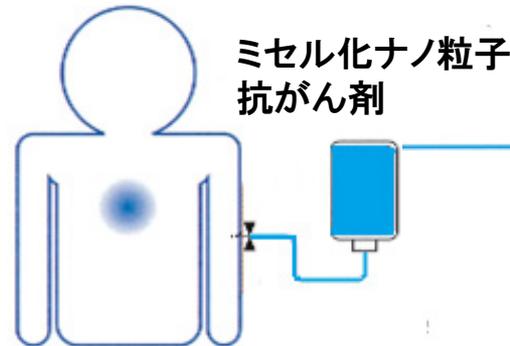
1. 前処置や後処置(入院)が必要
2. 強い副作用
3. 治療の継続が困難になる

薬効増大
副作用軽減

QOL向上

医療費削減

Quality of Life (QOL): 生活の質



患部に集中



当社で開発中の
ミセル化ナノ粒子抗がん剤

ナノキャリアの抗がん剤は患者さんのQOLを向上

1. 前処置、後処置が不要、日帰り治療が可能になる
2. 患部に集積させ、薬効増大・副作用軽減を図る
3. 効果と安全性がより高まり治療継続が可能になる

他社との技術比較

	放出制御	ターゲティング	生物学的利用能	
Passive	アルブミンナノ粒子製剤 (Abraxane等)	Low	Low	Low
	リポソーム (Doxil, ONIVYDE, Lipodox等)	Low	High	Medium
	PEG-PLA (Genoxol-PM, etc.)	Medium	Low	Medium
	Passive型ミセル (NC-6004, NC-4016等)	High	High	High
Active	Active PEG-PLA (BIND-014等)	Medium	Very high	High
	ADCM (NC-6201等)	High	Very high	Very high

パイプライン(開発)

開発品目	内包薬物	対象疾患	ステージ	開発地域		状況	開発形態/企業						
NC-6004	シスプラチン	膵がん	Phase III	アジア	台湾	患者投与中	ライセンス 及び共同開発 Orient Europharma						
					シンガポール								
					香港								
					韓国								
					フィリピン								
					マレーシア								
		日本											
頭頸部がん	Phase I	台湾	患者投与中										
頭頸部がん	Phase I	日本	患者投与中	自社開発									
肺がん	胆道がん	膀胱がん	Phase II	米国	患者投与中	自社開発							
							頭頸部がん	Phase I/II	患者登録準備中				
							NC-4016	ダハプラチン	固形がん	Phase I	米国	患者投与中	自社開発
							NC-6300 /K-912	エピルビシン	固形がん	Phase I	日本	ほぼ終了	ライセンス 及び共同開発/ 興和
NK105	パクリタキセル	乳がん	Phase III	日本・アジア	平成28年度上期 NDA申請を予定※	ライセンスアウト/ 日本化薬							

※2015年11月6日開催の日本化薬株式会社主催の決算説明会上で開示された内容に基づき記載

パイプライン 状況(1)

NK105: パクリタキセル内包ミセル

Topics in 2015

- Phase III (乳がん)

今後の展望

ライセンスアウト先の日本化薬株式会社が開発を主導

NC-6004: シスプラチン内包ミセル

Gemcitabinとの併用療法 / 放射線との併用療法

Topics in 2015

- アジアで先行する膵臓がんのPhase III試験に、日本の施設も参加
- 日本、アジア、米国にて、頭頸部がんのPhase I試験を開始
- 米国にて、3つの適応症を対象としたバスケットデザイン試験を開始

今後の展望

- 2017年秋にアジア/日本の膵がんPhase IIIが終了予定
- 2017年秋に米国バスケットデザイン試験Phase IIが終了予定

パイプライン 状況(2)

NC-4016: ダハプラチン内包ミセル(オキザリプラチンの活性本体)

Topics in 2015

- 米国にてPhase I 試験を実施中

今後の展望

- より高い用量でより毒性を抑制しているため、試験期間は2016年夏まで延長。
- 試験終了後、適応症を十分考慮し、本格的な第 I b/ II 相臨床試験を進める。

NC-6300/K-912: エピルビシン内包ミセル

Topics in 2015

- 日本にてPhase I 試験実施中。

今後の展望

- 患者投与はほぼ終了し、ライセンス先の興和株式会社と今後の開発方針を決定し次ステージへ進める。

次世代型 新規パイプライン

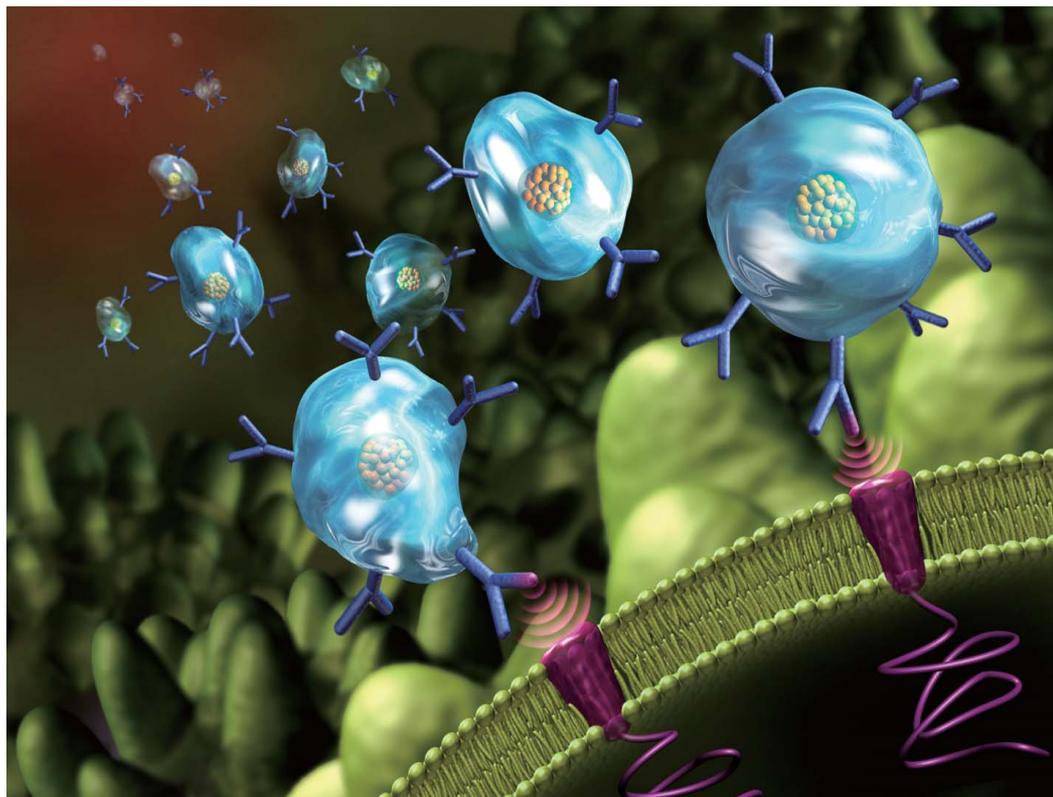
センサーを利用したActive Targetingを可能とする次世代技術

開発品目	内包薬物名	対象疾患	開発携帯	ステージ	提携企業
NC-6201	E7974	固形がん	導入品のリプロファイル 自社でのADCM化および開発	非臨床試験	
Active NanoFect	siRNA	固形がん	核酸医薬品に関する Active型システムの共同研究	基礎研究	<small>すべての革新は患者さんのために</small>  <small>Roche ロシュグループ</small>

新技術 Antibody/Drug-conjugated Micelle

がん細胞を特定し、細胞内へ侵入

抗腫瘍効果を発揮する細胞内の必要な場所に、薬物を大量に安全に運ぶ



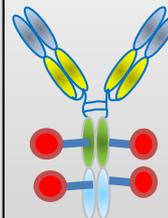
ポイント 細胞質内や核へ確実に届けることが重要

次世代技術
ADCM

ポイント
薬物100個以上/1抗体

粒子内に薬物を結合/内包

- ◆ 粒子内へ内包できる薬物量が多い
- ◆ 1粒子あたりの抗体は数個で有効
- ◆ 薬物/抗体の多様な組合せが可能
- ◆ 幅広い薬剤を利用可能



既存技術
ADC

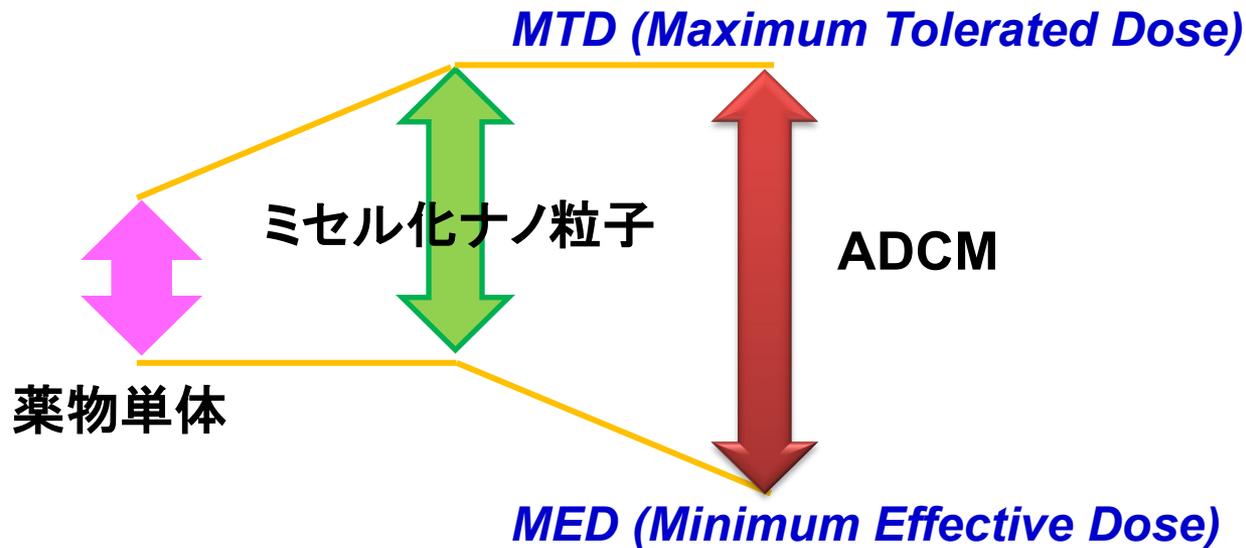
抗体に直接薬物を結合

- ✓ 薬物結合数が少ない
- ✓ 強い活性を持つ化合物のみ選択
- ✓ 高活性のため、副作用の不安
- ✓ 抗体が大量に必要

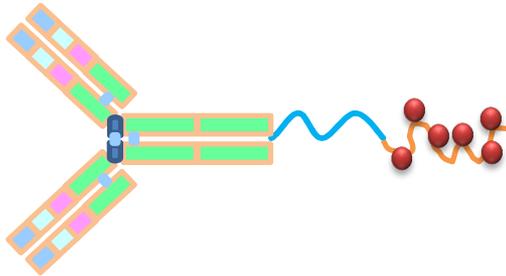
ADCM 治療域拡大

ADCM化によるメリット

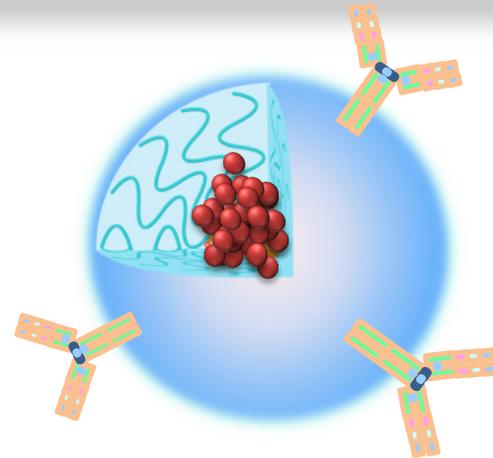
腫瘍組織内への移行性を高めることで
効果の増大と副作用の軽減を達成



ADCM の優位性



ADC



ADCM

Experimental results of ADCM

Study	ADC* vs. ADCM
がん集積性	ADC < ADCM
抗腫瘍効果	ADC < ADCM
細胞内移行性	Mab < ADCM

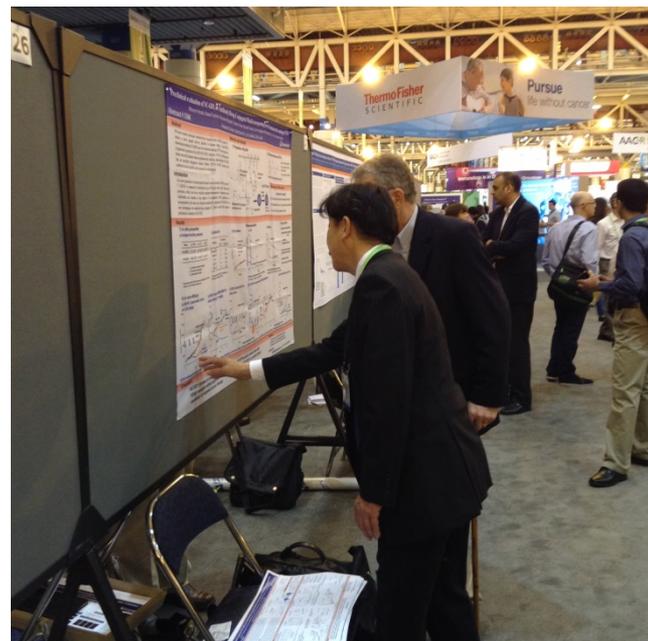
*ADC: Mab-Drug was originated by NanoCarrier

ADCM 治療域拡大の効果

NC-6201

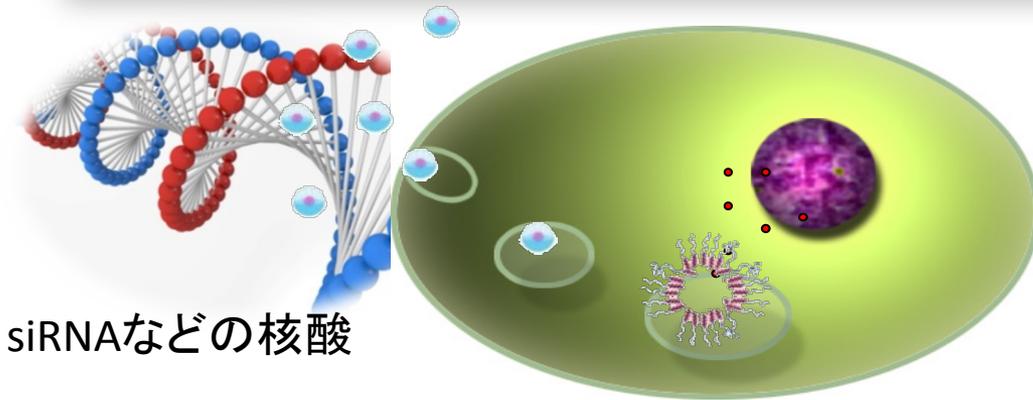
EGFRを発現する 多様ながんの増殖を阻害

- AACR2016 発表
- GLP非臨床試験実施中
- 2016年度 米国IND申請予定



Formulation	Dose (mg/kg)		Therapeutic index	Ratio to E7974
	ED ₅₀	MTD		
E7974 (Drug alone)	1.8	0.75	0.41	1.0
E7974 Nanomicelle	2.7	2.5	0.93	2.3
Cetuximab-E7974 ADCM	0.2	2.5	12.5	30

核酸 デリバリー作用メカニズム

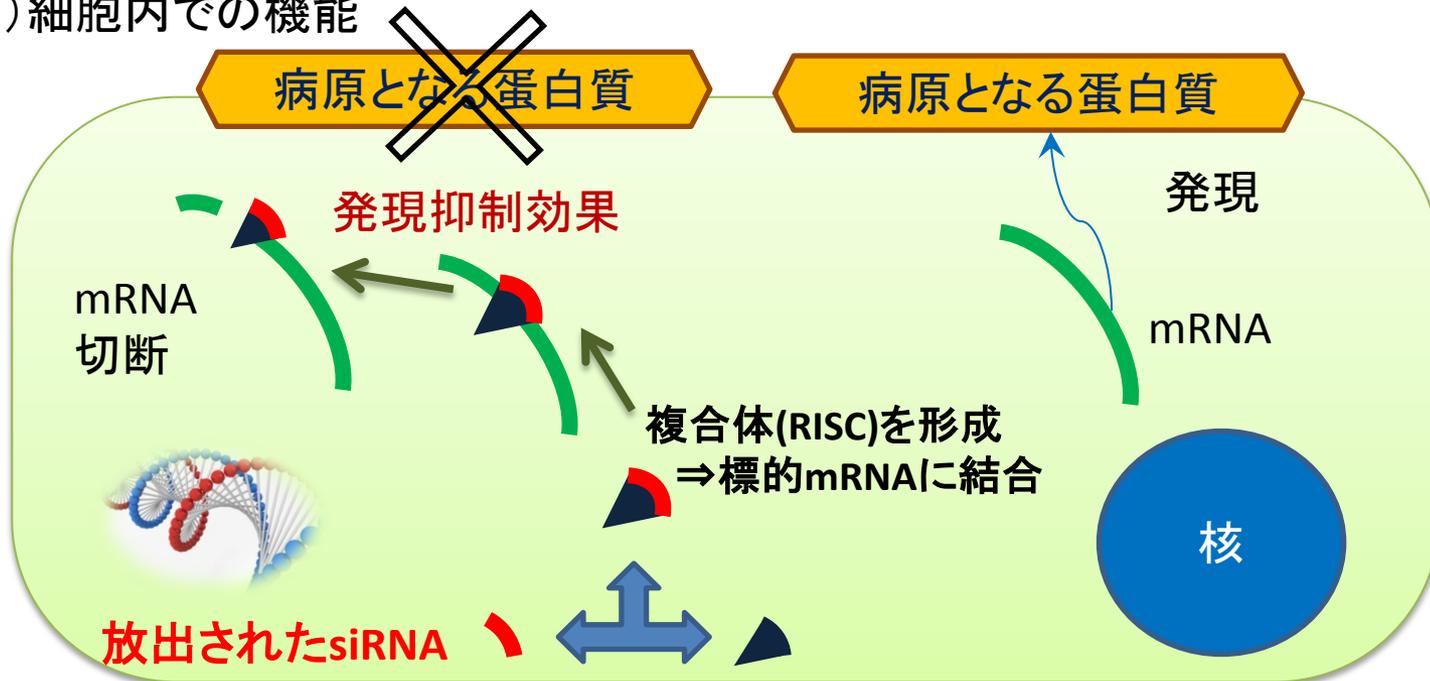


siRNAなどの核酸

mRNA (メッセンジャーRNA):
タンパク質を構成するアミノ酸配列
情報を持つRNA

RISC:
RNA-induced silencing complex
(siRNAとタンパク質の複合体)

例) 細胞内での機能



核酸医薬の研究

Active型siRNA

すべての手紙は患者さんのために

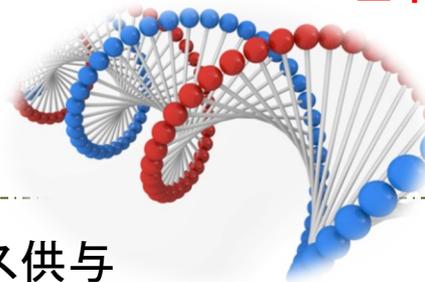


Roche ロシュグループ

中外製薬の豊富な経験とナノキャリアの技術を組み合わせ、画期的な医薬品候補化合物を創製する共同研究契約を締結(2015年2月24日)

- ◆ Active型NanoFect[®]を用いてファーストインクラスとなるsiRNAの抗がん剤開発を推進。

ポイント 世界初の製品を狙う共同研究
共同開発期間 2年間



核酸デリバリー技術のライセンス供与



当社の遺伝子デリバリー技術を適用した医薬品の開発について、アキュルナと国内外の再実施権付独占的ライセンス契約を締結(2016年3月16日)

- ◆ 当社が知財権を所有するDDSを用いてmRNAなどの遺伝子送達型医薬品の事業化。同社の研究開発が一定の段階に達した場合には、同社の新規医薬品候補の開発や販売権等について、当社が優先交渉権を有する

ポイント
技術活用と基礎的な研究が様々な機関で研究され拡大が見込まれる

iCONM (ナノ医療イノベーションセンター)

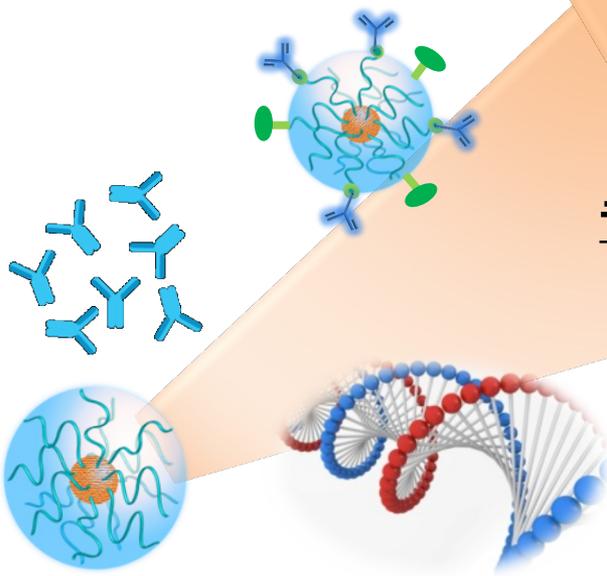
「体内病院」の実現を目指す

全ての医療機能が人体内に集約される「体内病院」の実現を目指しています。ウイルスサイズのスマートナノマシンが、体内の微小環境を自律巡回し、24時間治療・診断を行います。

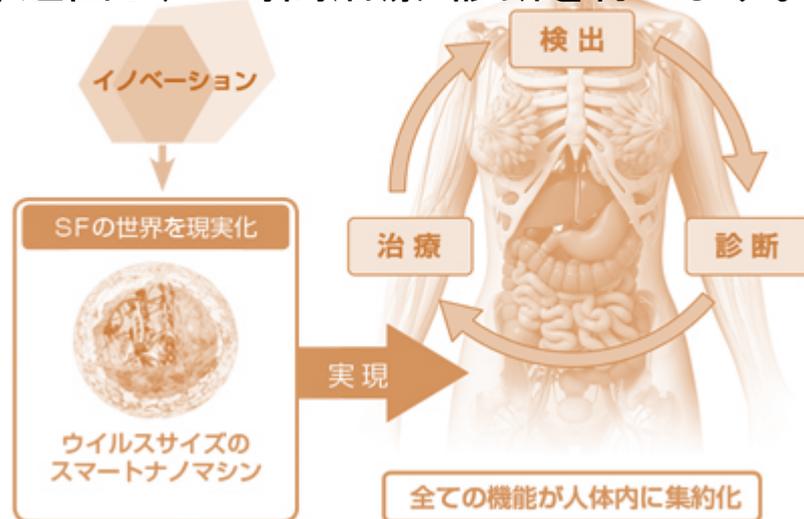
ナノキャリアの取り組み

テーマ1

脳疾患をターゲットとした研究



ミセル化ナノ粒子



ライセンス&出資

アキュルナ株式会社
ナノ医療イノベーションセンター(iCONM)やセンター・オブ・イノベーション(COI)プログラムの研究成果を移転し、社会実装を実現していくために2015年12月に設立された。

事業内容:
薬物送達システムを応用した核酸医薬品などの研究開発

ADCM応用範囲拡大 : 難治がんに挑戦

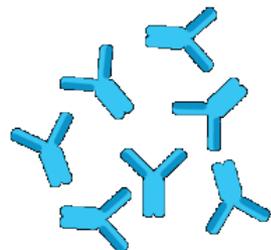
新規抗体を獲得 : 抗ヒトTissue Factorモノクローナル抗体

組織因子 (Tissue Factor : TF)

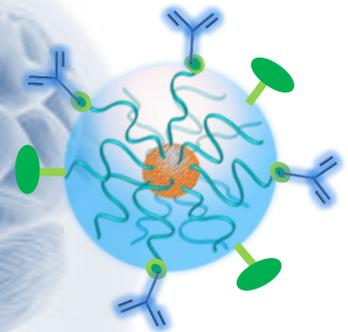
- ◆ 腫瘍細胞のみでなく腫瘍血管にも発現している
- ◆ 膵がんなどの難治がんでも高発現している
- ◆ 抗TF抗体は難治がんに対するデリバリーツールになる
- ◆ ヒトTFを標的とするモノクローナル抗体の中でもユニークな活性をもつ抗体に関するもので、当社ADCM技術との融合で、画期的な新薬の開発を目指す

ADCMは、様々な抗体のラインナップを拡大することで、様々な疾患にチャレンジできる応用範囲の広い技術

**BBB-penetrating
ligands**



多形性膠芽腫：
難治性のヒト悪性腫瘍の1つ



化粧品事業拡大



2012
アルビオン社と共同研究契約

2013
新生エクラフチュール 発売

2014
海外展開
台湾、香港、シンガポール



←琉球ガネブ【強き生命力のブドウ】



クパスバター→
【神様からの贈り物】

当社ミセル技術によりアルビオン厳選された植物成分から抽出した美容成分をより効率的に届けられるように研究開発を実施し発売された商品

化粧品事業拡大

当社ミセル技術を応用し、美白有効成分コウジ酸をミセル化。
より効率的に届けられるように研究開発を実施し発売された商品

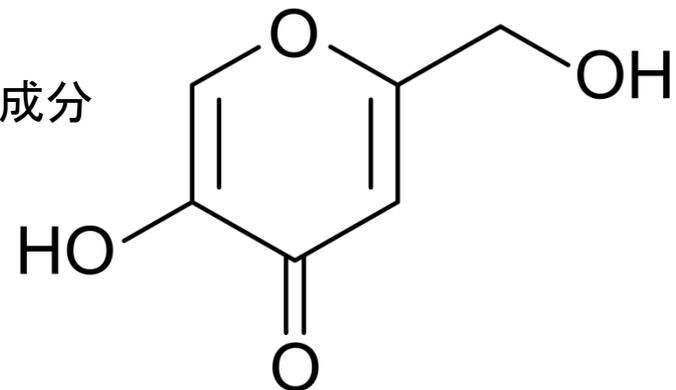
アルビオン エクシアAL ホワイトニング イマキュレート エッセンス IDD



<薬用美白美容液>

医薬部外品

美白有効成分
コウジ酸



1.5mL × 28個 25,000円(税抜)
2016年4月18日発売

化粧品事業拡大

男性用スカルプトータルケア製品 デプス



SCALP CARE
Depth
TECHNOLOGIES

2016年3月30日発売開始

美容室でのカウンセリング販売 および インターネット通販

<http://depth.technology/>

スカルプケアに革命を「4パートシステム」

PART 01 洗淨



スカルプケア シャンプー

頭皮の健康を考える

PART 02 潤い



スカルプケア マッサージトリートメント

皮膚は水分/油分のバランスが大事

PART 03 導入



cPA※を配合

スカルプケア エッセンス

次のパートで使用する育毛剤のはたらきを
ブーストアップ

PART 04 促進



育毛成分
酢酸DL- α -トコフェロール、
センブリエキス、グリチルリ
チン酸ジカリウム

医薬部外品

メディケイティッドトニック エッセンス

ナノキャリアのDDSで必要とする場所に
届けます

※cPA: 環状ホスファチジン酸 お茶の水女子大学の室伏きみ子名誉教授が発見した物質
細胞の活性化を促し、ヒアルロン酸産生を増強。毛乳頭細胞の活性化も促進してくれることが明らかとなっている

2016年度 主要なイベント

1

臨床試験を計画に沿って推進

ミセル製剤のPoCを確立

- NC-6004: 日米アジアでの試験を推進
- NK105: 承認申請(日本化薬)

2

新規の臨床パイプラインを創造

ADCM: NC-6201のIND申請 (Phase I 米国)

NanoFect: 中外製薬との共同研究の推進

および次ステージ入りを目指す

3

共同研究およびライセンスを推進



LEADING-EDGE NANOTECHNOLOGY

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

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

お問合せ先

ナノキャリア株式会社 社長室 TEL:03-3241-0553