



平成 29 年 1 月 20 日

<各位>

ナノキャリア株式会社  
代表取締役社長 中富 一郎  
(4571 東証マザーズ)  
問合せ先 CFO兼社長室長 松山哲人  
電話番号 03-3241-0553

個人投資家様向け会社説明会資料について

ナノキャリア株式会社は、2017 年1月20 日（金）15時15分より、個人投資家様向け会社説明会を開催しております。同説明会の資料は別紙の通りです。

【添付資料】

投資説明会において使用した資料

以上

日本証券新聞主催  
東京・新春特別  
バイオベンチャー  
IRセミナー

2017年1月20日



会社概要

東証マザーズ4571

ナノキャリア株式会社

LEADING-EDGE NANOTECHNOLOGY

 **NanoCarrier**<sup>®</sup>



## 将来性の見通しに関する記述



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。





# ナノキャリア株式会社



- 1996年 ナノキャリア設立：  
日本発の最先端ナノテクノロジーを基に、医学/工学を融合した新しい医薬品開発へ
- 2000年 研究所設置：千葉県柏市において本格始動抗がん剤の開発を主力に、技術革新に挑む
- 2008年 東証マザーズ上場
- 2014年 本社機能と研究所機能を統合：研究開発体制を強化（千葉県柏市）
- 2017年 臨床試験を内外で実施中(日本、米国、欧州、アジア)

## 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

本社/研究所	千葉県柏市若柴226番地39中央144街区39
東京オフィス	東京都中央区京橋1-4-10 大野屋京橋ビル
iCONMラボ	神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目2 5 番 1 4 号





# 会社概要



設立	1996年6月14日	
上場市場、及び年月日	東京証券取引所マザーズ 上場 2008年3月5日	
資本金	11,082百万円 (2016年12月31日現在)	
発行済株式総数	43,174,384 株 (2016年12月31日現在)	
役職員	68名 (2016年12月31日現在)	
取締役	代表取締役社長 CEO	中富一郎
	COO	花田博幸 (元生化学工業 研究開発担当執行役員)
	CFO兼社長室長	松山哲人 (元三菱商事株式会社 ナノテクパートナーズ代表取締役)
	非常勤取締役	岡野光夫 (東京女子医大名誉教授・特任教授)
		大橋彰 (医師 クリニック院長)
		松村淳 (ウイズ・パートナーズ 代表取締役副社長 COO)
藤澤朋行 (ウイズ・パートナーズ 取締役)		
監査役	常勤監査役	野口勘四郎 (元化合物安全性研究所 常務取締役総務部長)
	非常勤監査役	森嶋正 (森嶋公認会計士事務所 代表 公認会計士)
		古田利雄 (クレア法律事務所 代表社員弁護士)
サイエンティフィック アドバイザー	片岡一則 (東京大学特任教授、ナノ医療イノベーションセンター長)	
	長崎幸夫 (筑波大学大学院教授)	
	西山伸宏 (東京工業大学教授)	



# ビジネス戦略



## POC医薬品

### 市販品や臨床途上の医薬品

ファーマコ・カインेटクスを改良して治療域を広げ、新しい薬効と用量・用法を確立する

## 市場

### アンメットニーズと市場の拡大

治療目的に応じた医薬品を開発し、グローバル展開を目指す

## 自社開発&提携

### 自社開発/共同研究開発 /ライセンス提携

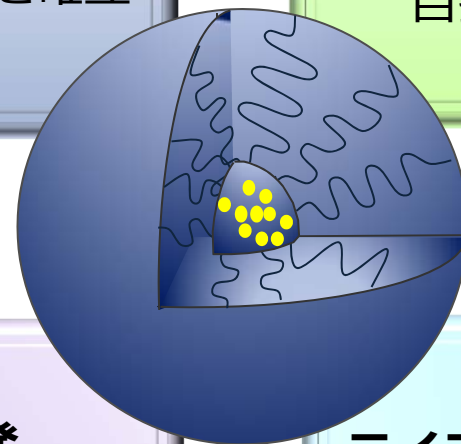
自社開発を重視しつつ、提携を進め経営バランスを保つ

## 知的財産

### 独占性の確立

### ライフサイクルマネジメント

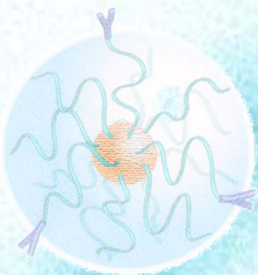
- ・ 特許による基盤技術の優位性を確保
- ・ 参入障壁を構築
- ・ 特許期間の延長を確保







# NanoCarrier Highlights



継続した技術革新

豊富なパイプライン

新しいチャレンジ

Japan  
Technology

Micellar  
Nanoparticle

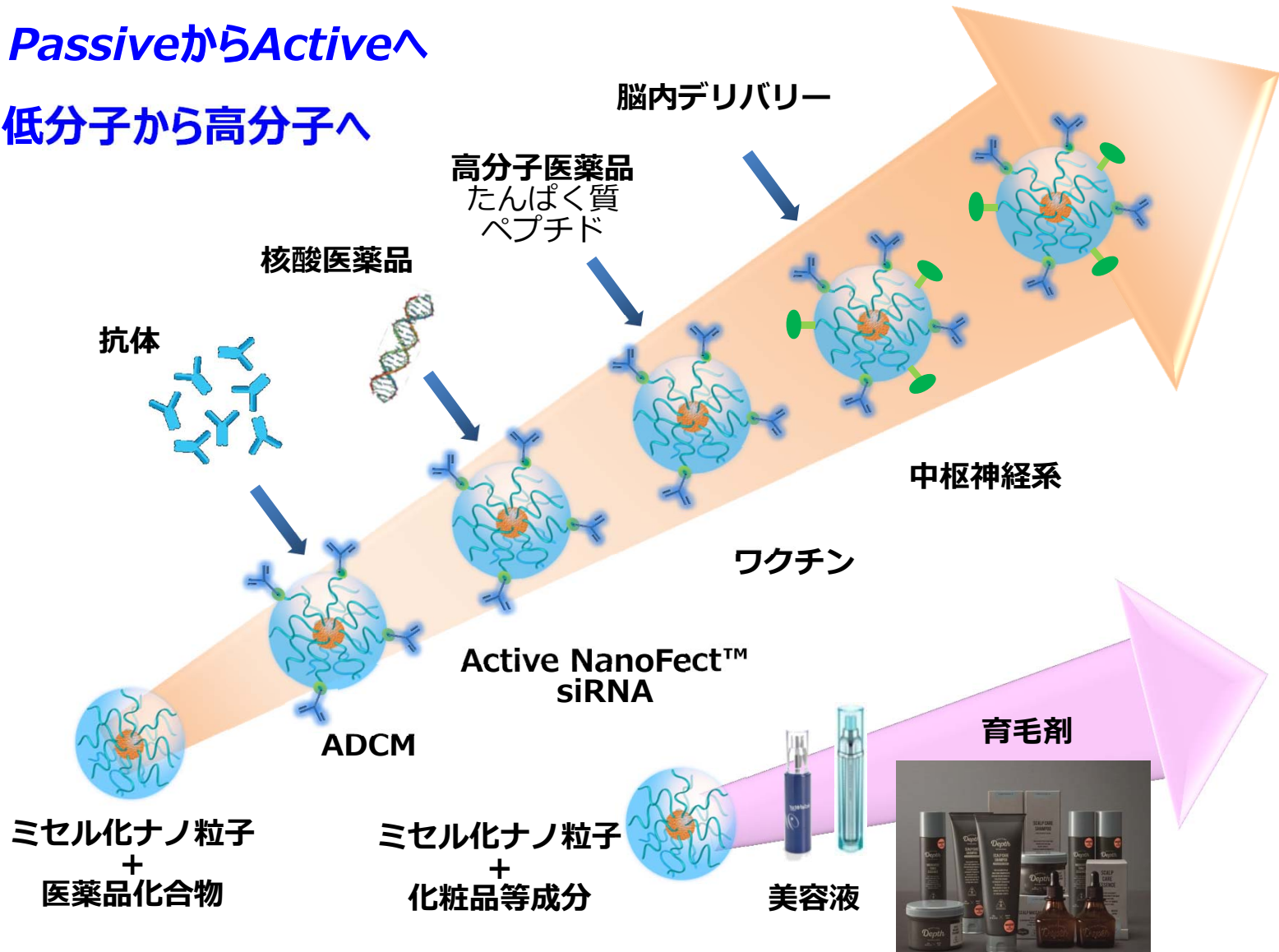




# ナノキャリアの継続した技術革新

PassiveからActiveへ

低分子から高分子へ







# コアテクノロジー ミセル化ナノ粒子

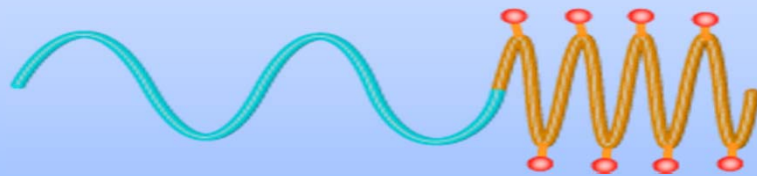


ポリエチレングリコール

(親水性, 外核)

ポリアミノ酸

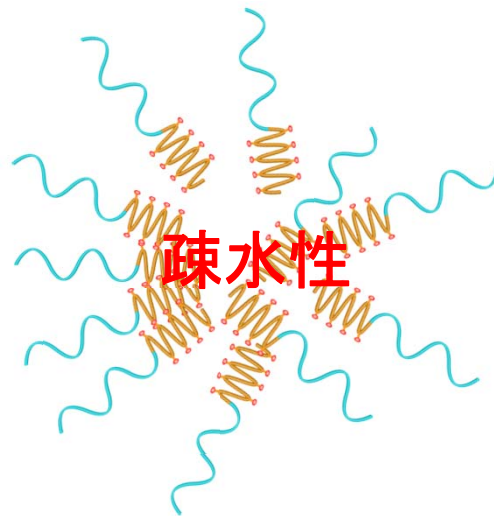
(疎水性, 内核)



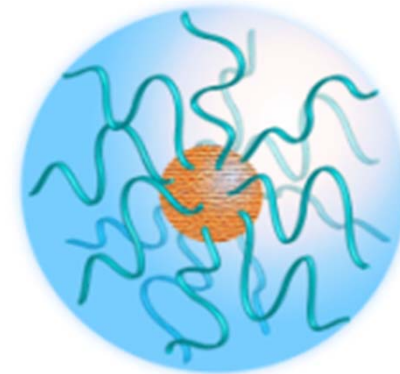
○:薬物 (低分子・高分子)

薬物/ポリマー

- 疎水性相互作用
- 静電相互作用
- 化学結合



自己会合



平均粒子径 30-100nm



# システムデザイン



## 特長

## 構造

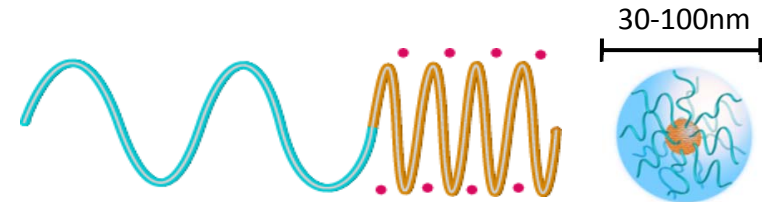
### NanoCap™

- 物理吸着型  
NK105 (パクリタキセル)  
化粧品
- 静電結合型  
タンパク質、siRNA

薬物の可溶化と  
血液中の  
滞留性向上

ポリエチレングリコール  
親水性

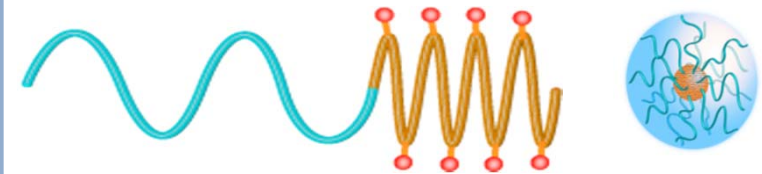
ポリアミノ酸  
疎水性



### Medicelle™

- 化学結合型  
NC-6004 (シスプラチン)  
NC-4016 (ダハプラチン)  
NC-6300 (エピルビシン)

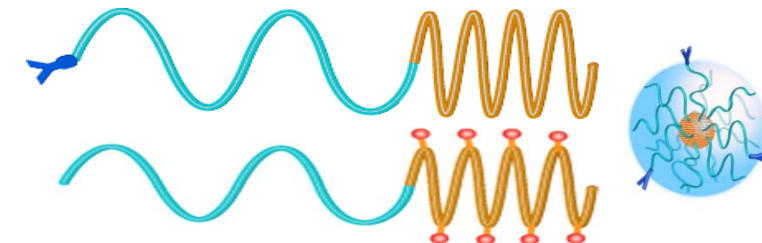
血液中の  
滞留性向上



### ADCM (Antibody/Drug-Conjugated Micelle)

- センサー修飾薬物結合型  
(Active Targeting)  
センサー：抗体、ペプチドなど  
NC-6201 (E7974)

多くの薬物を  
標的部位に  
効率よく  
ターゲティング





# デリバリー特性に優れたミセル化ナノ粒子



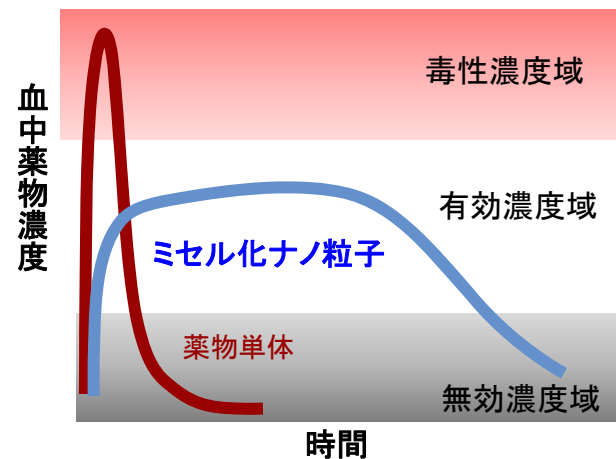
## 溶解性に優れる

難溶性の薬物を水に容易に分散する

薬物(mg/mL)	イトラコナゾール	パクリタキセル
水	<0.001	<0.1
ミセル化ナノ粒子	>2	>50
溶けやすさ (ミセル/水)	2000 倍以上	500 倍以上

## 放出コントロールに優れる

放出コントロールに優れ（安定性、安全性の向上）、血中滞留性の向上（薬効の持続に繋がる）



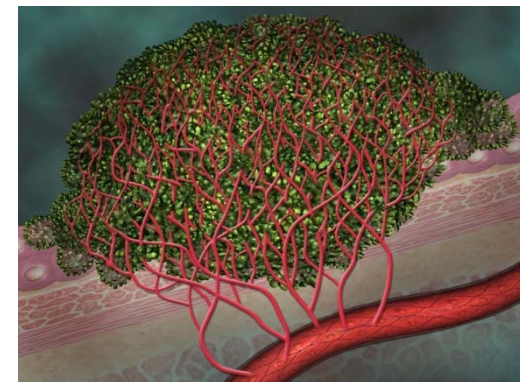
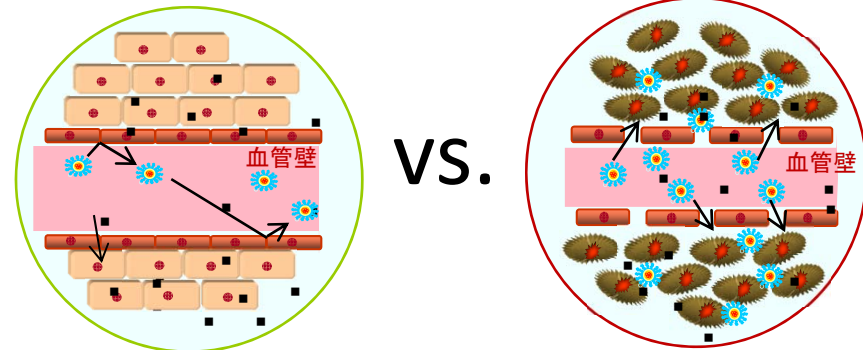
## ターゲティングに優れる

がん組織の特性を捉えたミセル化ナノ粒子のがん部位への集積メカニズム

正常組織

がん組織

- : 薬物単体
- ☀: ミセル化ナノ粒子







# 技術比較:ミセル化ナノ粒子の優位性



	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



# 既存薬 & 新規医薬品の高付加価値化



## 医薬品の 高付加価値化

- 放出制御  
薬物放出をコントロール
- ターゲティング  
病巣部位に伝達
- Bioavailability<sup>1</sup>の向上  
難溶性薬物の可溶化

## 患者さんの Quality Of Lifeを改善

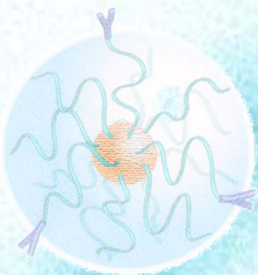
- 治療効果増大  
対象細胞への薬物送達
- 副作用軽減  
薬物放出コントロールによる  
毒性軽減
- 利便性改善  
入院不要、副作用対策軽減、  
医療費削減にも寄与

注：<sup>1</sup>Bioavailability: 生物学的利用能  
投与された薬物が、どれだけ全身循環血中に到達し作用するかの指標





# NanoCarrier Highlights



継続した技術革新

豊富なパイプライン

新しいチャレンジ

Japan  
Technology

Micellar  
Nanoparticle





# 豊富なパイプライン



製品	内包薬物	対象疾患	基礎	前臨床	ph1	ph2	ph3	開発地域	パートナー
NC-6004	シスプラチン	膵がん	共同研究					日本/アジア	友華股份有限公司 Orient Europharma Co., Ltd.
		非小細胞肺がん	自社開発					米国/欧州	
		胆道がん							
		膀胱がん							
		頭頸部がん	自社開発		共同研究		米国/欧州 台湾	友華股份有限公司 Orient Europharma Co., Ltd.	
NC-4016	ダハプラチン	固形がん	自社開発					米国	
NC-6300	エピルビシン	固形がん	自社開発					米国	
NC-6201	E7974 (ライセンスイン)	固形がん	自社開発					米国(予定)	Eisai
Active NanoFect	siRNA	固形がん	共同研究		自社研究			—	CHUGAI <small>すべての手続は患者さんのために</small> ロシュグループ
NK105	パクリタキセル	乳がん 胃がん 固形がん	導出					日本	Global "sukima" ideas NIPPON KAYAKU



# NC-6004: 開発コンセプト

がん化学療法のベース治療薬であるシスプラチンをナノメディスン化することで、治療中のQOL向上と有効性の向上を図る

## シスプラチンの臨床的価値

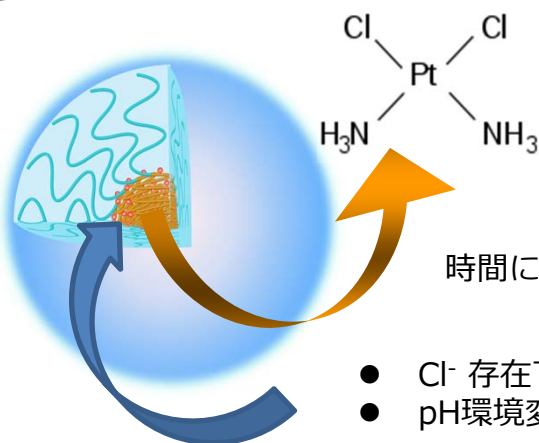
- シスプラチンはがん治療のベースである化学療法の中心的薬剤として、多くのがん腫（例：卵巣がん、頭頸部がん、非小細胞肺癌、胃がんなど）の標準治療レジメンに採用されている

## シスプラチンの課題

- シスプラチンは毒性（腎臓毒性、消化器毒性、神経毒性）が強く、毒性の発現のために治療が継続できないことががん治療上の問題となっている
- 投与に長時間を要するため、入院治療となる
- Bristol-Myers Squibbはシスプラチンの副作用を軽減したカルボプラチンを開発したが、有効性も減弱したため、シスプラチンを凌駕できていない（カルボプラチンのピーク時年間世界売上高USD905mm/2003年<sup>1</sup>）

注：<sup>1</sup> EvaluatePharma推定値

## NC-6004の開発コンセプト



- 効果増強
- 副作用軽減
- 集積性向上



# NC-6004 国内Phase I 試験成績概要

## NC-6004とゲムシタビンの併用療法

2016年6月10日 ASCO(米国臨床腫瘍学会)発表要旨

- ▶ ゲムシタビンとの併用療法において、日本人の固形がんに対するNC-6004の推奨投与量は90 mg/m<sup>2</sup>に決定。
- ▶ 病勢コントロール率は81.8%
- ▶ 主に認められた副作用は、好中球減少症および血小板減少症。制吐剤の前投薬なしでも、グレード3以上の悪心/嘔吐は認められなかった。
- ▶ PK/PDモデル解析により、急性腎障害は、従来のシスプラチンで報告されている約70%からNC-6004では30%と低減していることが示された。

本結果に基づき、膵がんを対象としたアジアPhaseIII試験に日本が参加して実施中





# NC-6004 国内開発進捗状況について

## NC-6004と放射線の併用療法（頭頸部がん）

2016年12月21日

国内で実施していた、放射線との併用による局所進行頭頸部扁平上皮がんに対する第I相試験に関し、患者さんに及ぼすリスクベネフィット分析を実施した結果、開発中止を決定

## NC-6004とゲムシタビンの併用療法（膵がん）

日本/アジアで実施中の局所進行性・転移性膵がんを対象とした第III相試験においては、これまでに治療上の重大なリスクは見られてはおりませんが、一時的に新規患者登録を控えて継続しているので遅延が見込まれる

2017年2月中

日本/アジアで実施中の局所進行性・転移性膵がんを対象とした第III相試験について、第三者機関である評価委員会にて、中間解析が実施される予定



# NC-6004 米国Phase I b試験成績概要

## NC-6004とゲムシタビンの併用療法

2016年10月10日 ESMO(欧州臨床腫瘍学会)発表要旨

- ゲムシタビンとの併用療法において、米国人の固形がんに対するNC-6004の推奨投与量は135 mg/m<sup>2</sup>に決定。
- 既存のシスプラチン投与時に発現する副作用である神経毒性、聴覚障害および腎毒性について、既存薬の標準投与量の1.5倍以上の投与量領域でのNC-6004投与時においても臨床的に問題となる事象は認められなかった。
- 本試験の患者集団の中で、シスプラチンを含む既存のプラチナ製剤の治療を受け、有効性が得られなくなった患者さんにおいても、NC-6004投与により良好な安全性が認められ、有効性が示唆された。

本結果に基づき、非小細胞肺癌、胆道がん、膀胱がんを対象としたPhase II(バスケットデザイン試験)を欧米で実施中



# NC-6004 米国 Phase I b試験 結果(1)

## 安全性：腎機能

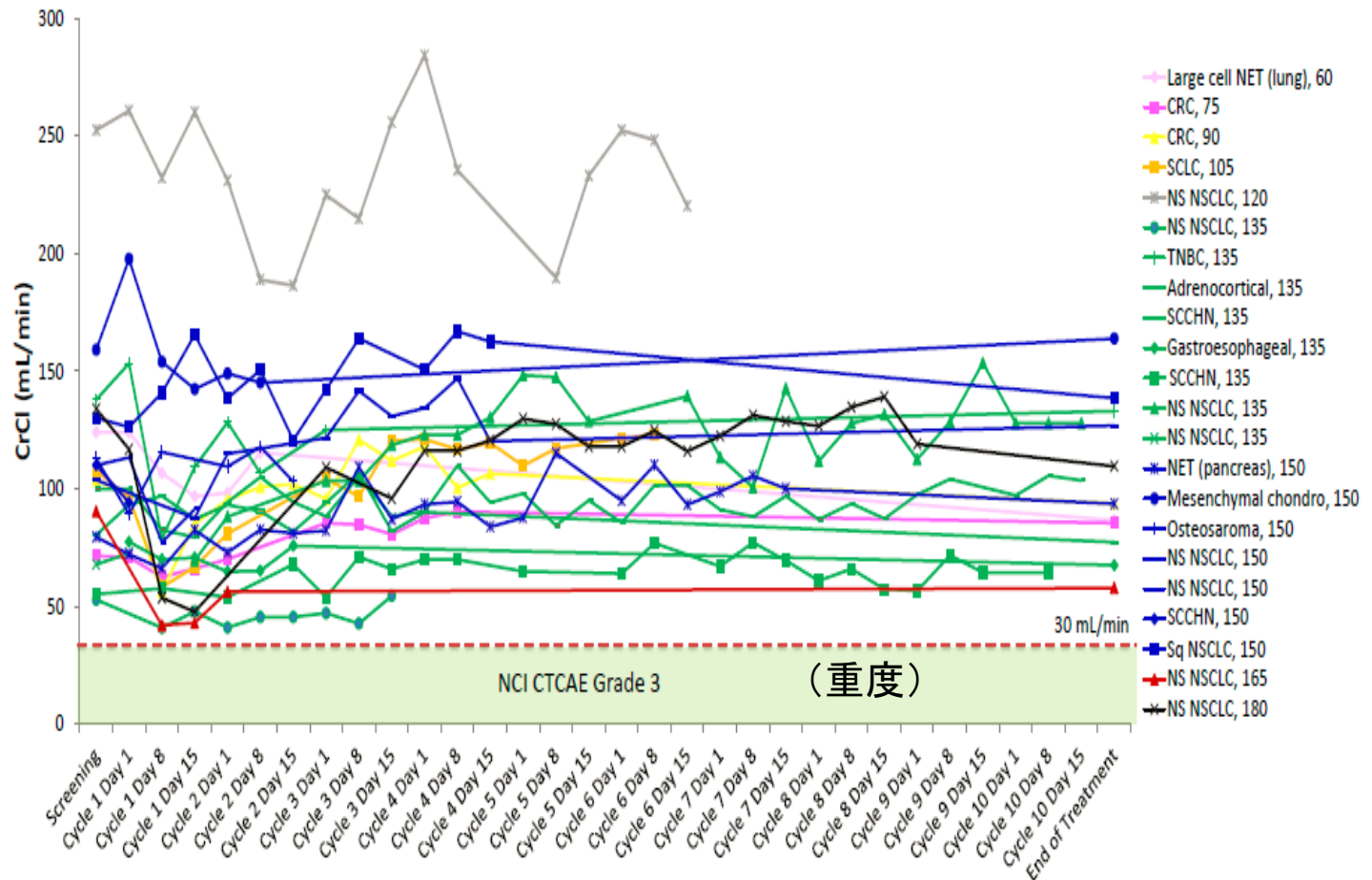
- 腎機能の指標が重度に悪化した症例は認められなかった。

クレアチニンクリアランス  
(腎機能の指標)



悪化

Figure 4. Change in CrCl Over Treatment Duration



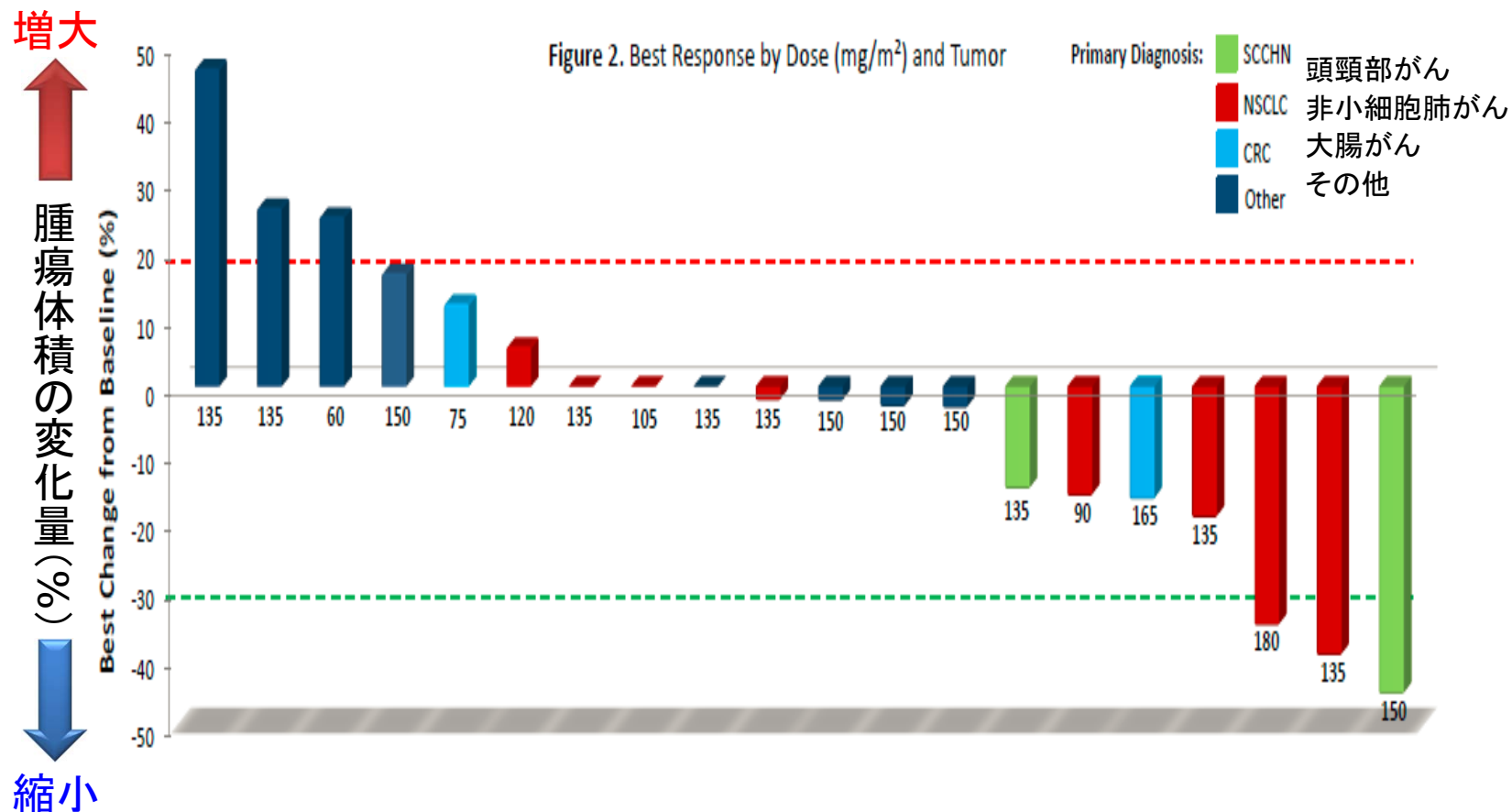




# NC-6004 米国 Phase I b試験 結果(2)

## 抗腫瘍効果

- 病勢コントロール率は85.0%(20例中:SD14例、PR3例)。
- 奏効(PR)が3例で認められ、うち1例はPD-1治療で疾患が進行した症例であった。





# NC-6300: エピルビシンミセル

## 国内第 I 相臨床試験完了

### ◆ 第 I 相臨床試験の結果

- エピルビシン特有の副作用である嘔吐や骨髄毒性などの抑制傾向が見られ、60または100mg/m<sup>2</sup>(乳がん治療の例)を超える容量まで投与可能となり、推奨投与量は170 mg/m<sup>2</sup>に決定した。
- 心機能の低下傾向は認められず、12か月間を超える投与例が存在し、継続的な治療の可能性を見出した。

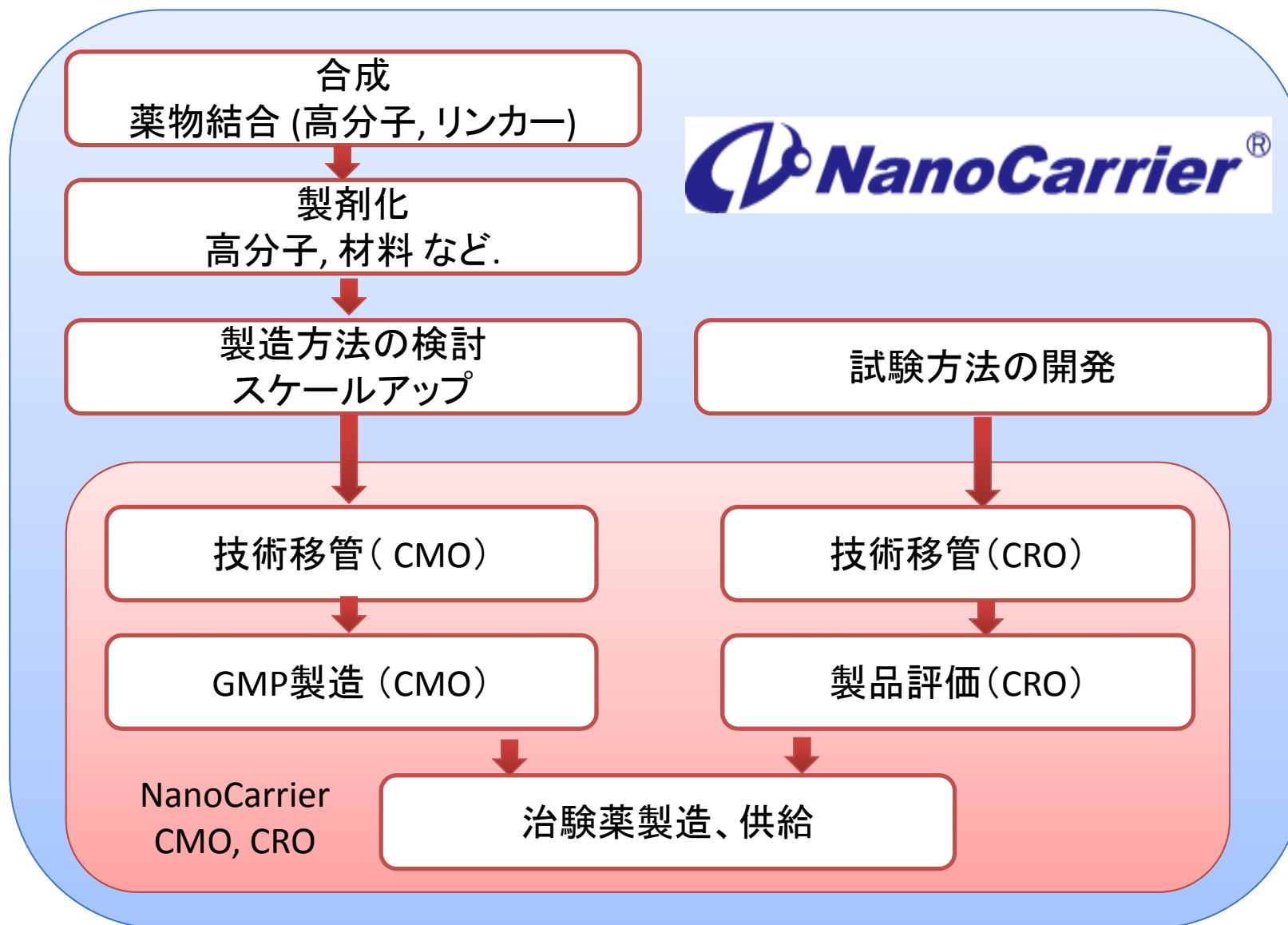
### ◆ 自社にて開発を加速化

- 米国の迅速審査制度の活用なども念頭に、あらゆる開発加速手段を検討

本結果に基づき、軟部肉腫を対象とした米国での第I/II相臨床試験開始のための治験計画届出書(IND)を米国FDAに提出 (2016年12月30日)



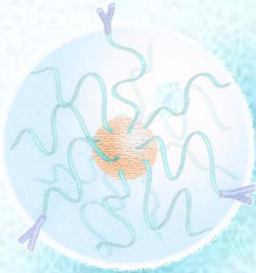
# 製品開発・製造体制







# NanoCarrier Highlights



継続した技術革新

豊富なパイプライン

新しいチャレンジ

Japan  
Technology

Micellar  
Nanoparticle



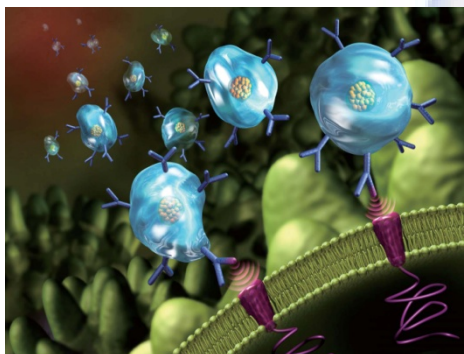


# 次世代型アクティブターゲティング

例) ADC医薬品は世界的に臨床開発が進んでおり、70品目以上の開発 (PI46、PII26、PIII5) が進んでいるが、上市品はまだ3製品

- 抗体と薬物の組み合わせなど制限あり
- 適応に制限あり

ナノキャリアの新技术は、ターゲティングセンサーや薬物の選択肢を大幅に改善し、多くの種類を使用可能にしたソリューションを提供します



**ADCM**  
(Antibody/Drug-Conjugated Micelle)



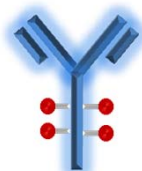
**市場拡大**



# ナノキャリアのADCM技術

## ADC

Antibody Drug Conjugate



薬物結合能  
4個程度/1抗体

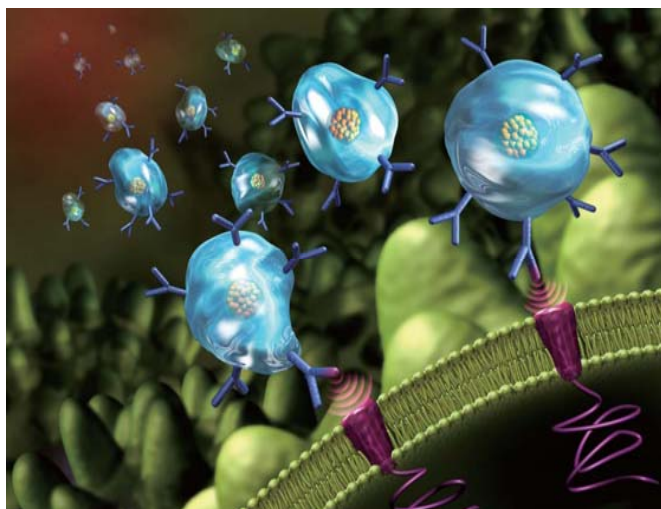


センサー

薬物

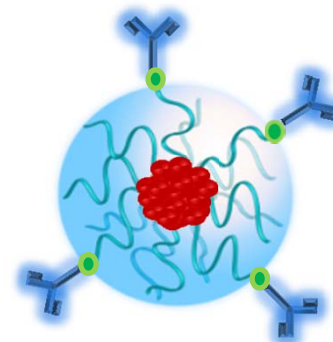
- ・抗体を用いたアクティブターゲティング製剤  
○標的化を可能にした製剤
- ・抗体に直接薬物を結合させる
  - ✓結合部位が少ないため、薬物結合数が少ない
  - ✓薬効を得るため、強い活性を持つ化合物を選択
  - ✓毒物を利用するため、副作用などの不安
  - ✓抗体が非常に高価

課題を改善するナノキャリアの新技术



## ADCM

Antibody/Drug Conjugated Micelle



薬物結合能  
100個以上/1抗体

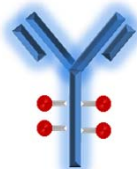




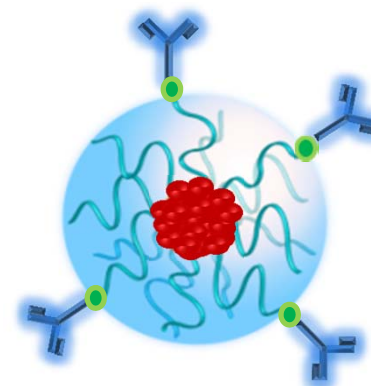
# ADCMの優位性



ADC



ADCM



## ADCMの比較検討結果

検討項目	ADC* vs. ADCM
血漿中の薬物放出コントロール	ADC < ADCM
がん集積性**	ADC < ADCM
抗腫瘍活性**	ADC < ADCM
細胞内移行性	Mab < ADCM

\*ADC: Mab-Drug was originated by NanoCarrier

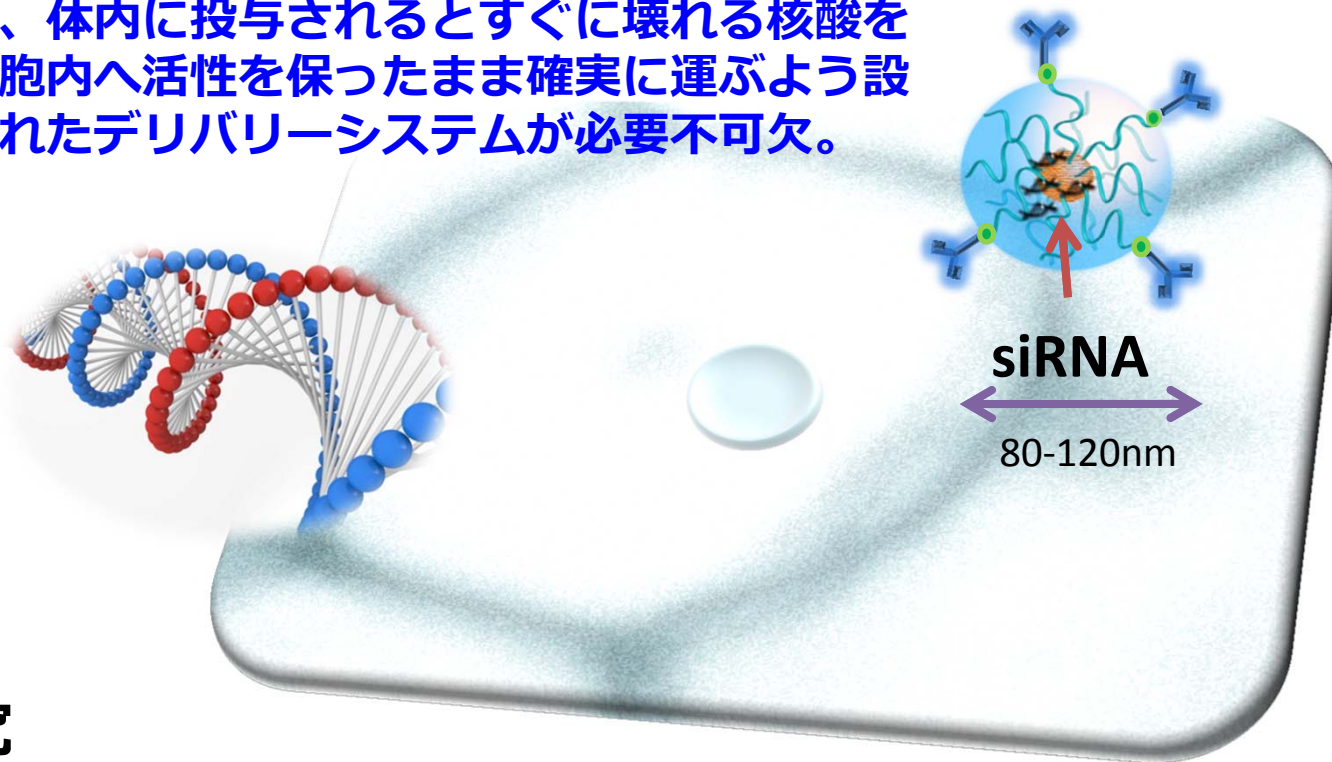
\*\*Studies were performed in triple-negative human breast cancer xenograft models.





# Active-type NanoFect™ siRNA

siRNAなどの核酸医薬品を有効な医薬品として開発するためには、体内に投与されるとすぐに壊れる核酸を保護し、細胞内へ活性を保ったまま確実に運ぶよう設計された優れたデリバリーシステムが必要不可欠。



## 共同研究

- 中外製薬との共同研究実施中

ナノキャリアのアクティブ型NanoFect技術と、中外製薬の豊富な経験を融合し、革新的な核酸医薬品の研究開発を推進中





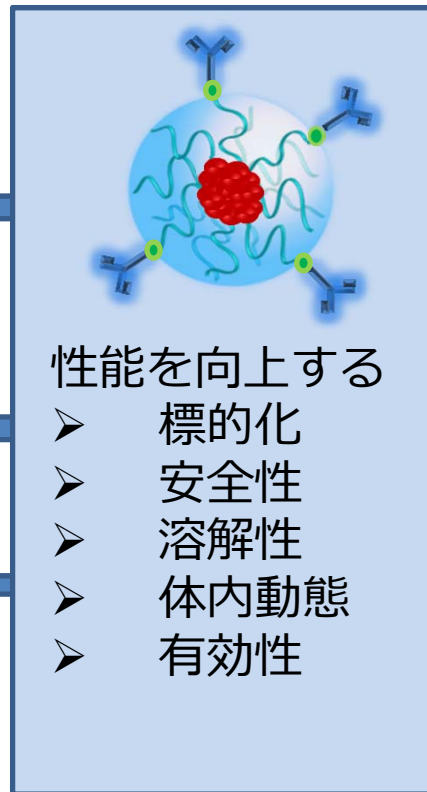
# プラットフォーム型技術の可能性



- 既存薬
- 開発段階で中断した化合物

- ADC 医薬品

- 新規医薬品候補



リプロファイル



薬の可能性を高め、開発を促進

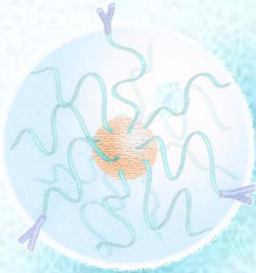
医療ニーズの高い新薬を創製







# NanoCarrier Highlights



継続した技術革新

豊富なパイプライン

新たなチャレンジ

Japan  
Technology

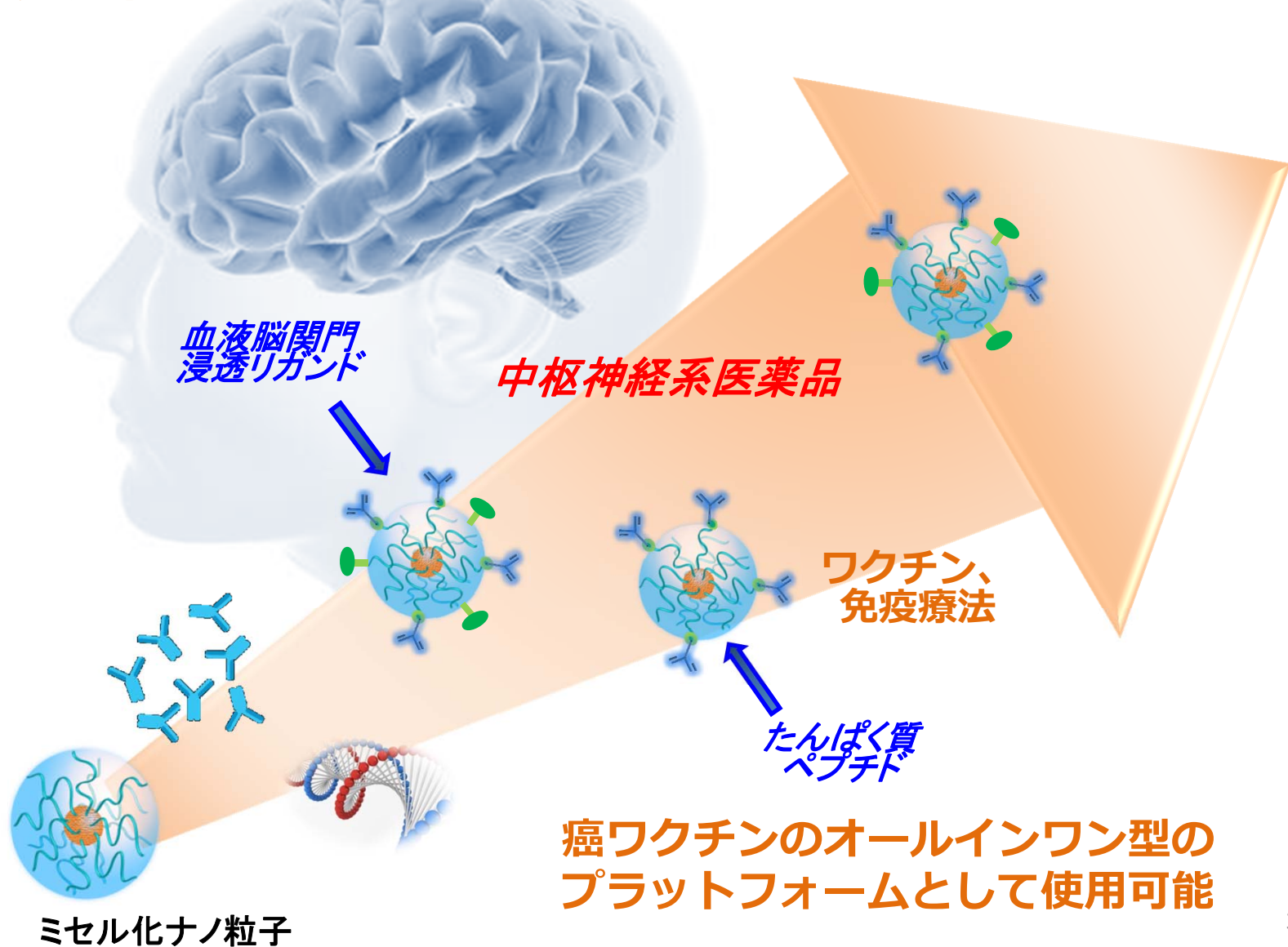
Micellar  
Nanoparticle





# 継続したチャレンジ

## 多形性膠芽腫：難治性ヒト悪性腫瘍のひとつ





# 化粧品への展開

ミセル化ナノ粒子は、高級化粧品メーカーとの共同開発により、化粧品技術としても確立

2013年  
新生eclafutur :  
アルビオンとの共同開発商品  
販売/アルビオン



2014年  
アジアへ海外展開  
リフィル発売  
大容量発売



2010年  
e'clafutur-W 美容液:  
自社開発/自社販売

2016年  
EXCIA AL:  
アルビオンとの共同開発商品  
販売/アルビオン

SCALP CARE  
*Depth*  
TECHNOLOGIES

アルビオンとの共同開発商品/  
販売/ナノキャリア



2016年  
育毛剤製品  
ヘルスケア領域への  
応用展開拡大





# 2016年9月末 貸借対照表



(単位:百万円)	2016年 3月	2016年 9月	増(減)
	(A)	(B)	(B)-(A)
現金預金、MMF、金銭信託 及び外貨建て社債(手許流動性)	14,426	12,677	(1,749)
その他流動資産	556	586	30
固定資産(長期性預金、外貨建て 社債を除く)	404	491	87
<b>資産合計</b>	<b>15,386</b>	<b>13,754</b>	<b>(1,632)</b>
転換社債型新株予約権付社債	3,000	2,475	(525)
その他負債	258	313	55
<b>純資産</b>	<b>12,128</b>	<b>10,966</b>	<b>(1,162)</b>
資本金及び資本剰余金	21,531	22,146	615
利益剰余金	(9,649)	(11,420)	(1,771)
その他有価証券評価差額金	3	(3)	(6)
新株予約権	243	243	0
<b>負債・純資産合計</b>	<b>15,386</b>	<b>13,754</b>	<b>(1,632)</b>

## 手許流動性の減少要因

営業損失	▲ 1,276
為替差損	▲ 518
新株予約権行使	+ 90
その他減	▲ 45
<b>正味増減</b>	<b>▲ 1,749</b>

## 固定資産の増加要因

実験設備の増強

## 転換社債の減少要因

転換社債の株式への転換

## 資本等の増加要因

CBの株式への転換	+ 525百万円
新株予約権の行使	+ 90
<b>正味増減</b>	<b>+ 615</b>



# 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

## 現時点におきましては、業績予想の変更はありません

### 研究/臨床/化粧品:

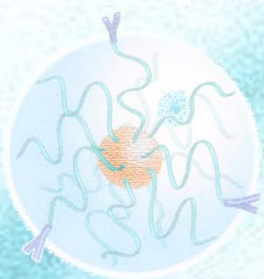
- 日本を含むアジア地域における膀胱がんPIII試験の推進 (NC-6004)
- 米欧におけるバスケット・デザイン方式によるPII試験の推進 (NC-6004)
- 米欧/台湾における頭頸部がんのPI試験の推進 (NC-6004)
- 米国でのIND申請 (NC-6300)
- siRNA医薬品に関する中外製薬との共同研究推進(Active型NanoFect)
- 新エクラフチュールの研究開発の推進 (化粧品事業)

### 収益/事業開発:

- エクラフチュール/エクシア AL 用原料の安定供給及び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規契約締結に向けた事業開発活動の強化

# ありがとうございました

独自のプラットフォーム技術に基づいて  
新薬を開発し、市場を拡大します



**Contact**

TEL: +81-3-3241-0553

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