

平成 29 年 8 月 1 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 取締役CFO兼社長室長 松山哲人
電話番号 03-3241-0553

NC-6004 胆道がん 米国FDAのオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定に関するお知らせ

NC-6004 について、胆道がん^{※1}に対する開発を対象に、米国 FDA（U.S. Food and Drug Administration）よりオーファンドラッグの指定^{※2}を受けましたのでお知らせ致します。

既にお知らせしておりますが、自社開発中である NC-6004 の米国第 II 相試験につきましては、バスケットデザイン試験を採用しており、一つの臨床試験の中で NC-6004 とゲムシタピンの併用による 3 種の対象がん疾患（非小細胞肺癌、胆道がん、膀胱がん）に対する評価を同時並行で実施中です。本年秋ごろには患者登録が完了する見込みであり、その後観察期間を経て解析を実施し、2018 年後半には結果がまとまる予定です。

尚、本件による平成 30 年 3 月期業績への影響はございませんが、日本発のミセル化ナノ粒子技術を用いた新薬を患者様にお届けするため、今後も国内外を問わず一日でも早い承認取得に向けた活動を積極的に推進してまいります。

<用語解説>

※1 胆道がん

肝臓で作られた胆汁は胆管を通過して、十二指腸へ流れ出ます。胆のうはこの途中にあり、胆汁を蓄積・濃縮します。胆のうと胆管を合わせて胆道といい、ここに発生したがんが胆道がんです。米国国立がん研究所（U.S. National Cancer Institute）によると、米国における胆道がんの 2017 年の新規発症患者数は 40,710 例（全がん患者の 2.4%）と推定されています。胆道がんは欧米には少なく、アジアに多いことが報告されています。胆道がんの現在の標準治療はゲムシタピン+シスプラチンですが、新たな治療法が求められており、シスプラチンを NC-6004 に置き換えることで、副作用軽減や抗腫瘍効果増強が期待されています。

※2 オーファンドラッグ指定（希少疾病用医薬品指定）

米国 FDA が、米国における患者数 20 万人以下の希少疾病に対する新薬開発を促進するために付与する制度で、オーファンドラッグの指定を受けると、米国で 7 年間の排他的先発販売権が与えられます。また、米国政府から臨床研究費の補助金の獲得、臨床研究費の税額控除、FDA 申請における医薬品審査手数料の免責、治験実施計画書の審査支援に対するの優遇措置が受けられます。

以上