



東証マザーズ
4571

事業計画及び成長可能性に関する事項

ナノキャリア株式会社

2021年12月24日

事業内容





ナノキャリアは

独創性 × 着眼力 × 最先端技術

医療の改善が望まれる疾患に新たな治療薬を提供

新たな価値を創造するとともに人々の健康と幸福に貢献します

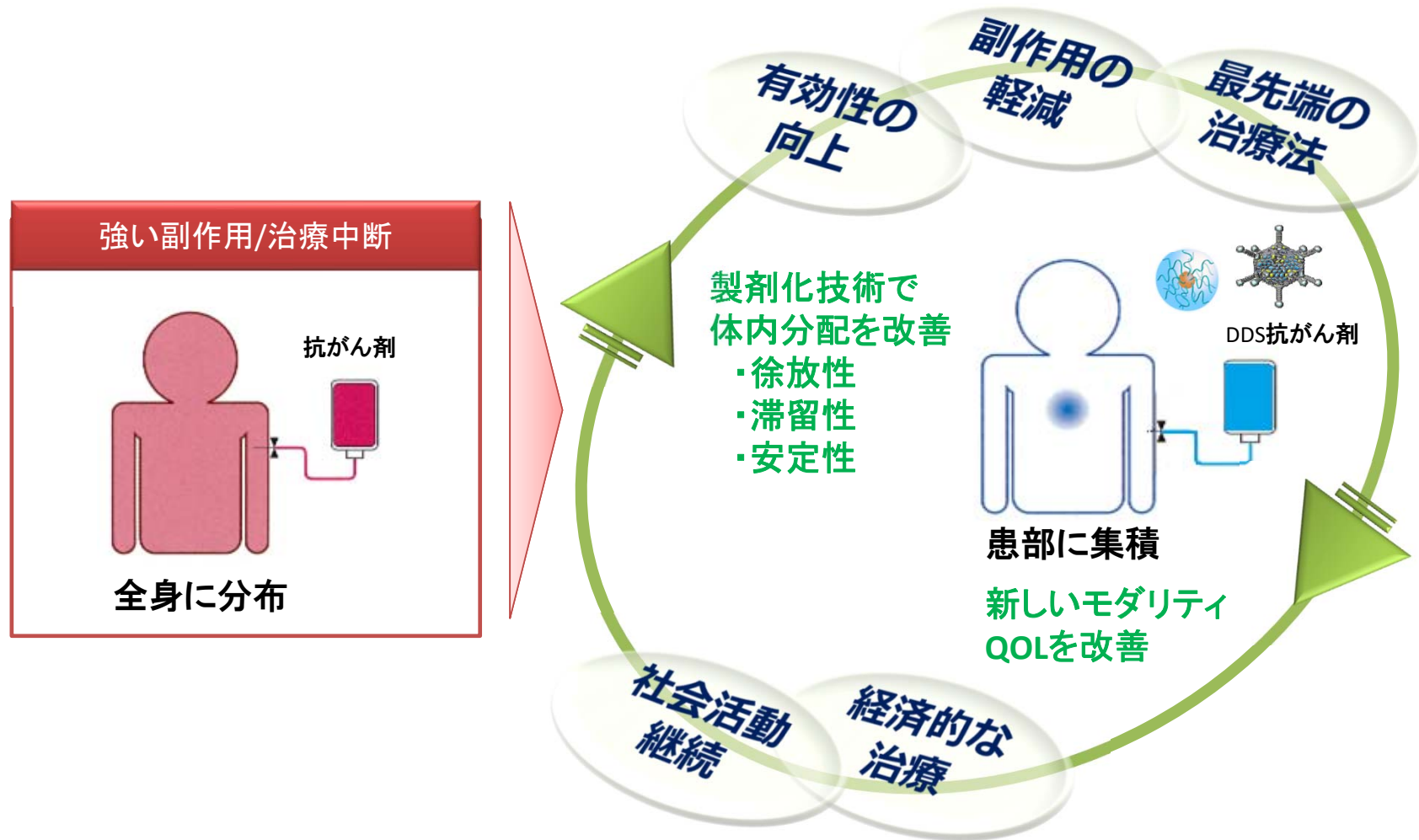


【沿革】

- 1996年 ナノキャリア株式会社設立
- 2000年 本社・研究所設置(千葉県柏市)：本格稼働
- 2008年 東証マザーズ上場
- 2020年 アキュルナ株式会社(核酸医薬)吸収合併
- 2021年 本社移転(東京都中央区)、研究所統合(神奈川県川崎市)

第3相を含む臨床試験を国内外で実施中

新たな価値を創造するとともに人々の健康と幸福に貢献します



会社概要



設立	1996年6月14日	
上場市場	東京証券取引所 マザーズ (2008年3月5日上場)	
所在地	本社 東京都中央区京橋 研究所 神奈川県川崎市川崎区殿町	
子会社	NanoCarrier US Danville, VA	
	株式会社 PrimRNA	
資本金	347 百万円 (2021年9月30日現在)	
発行済株式総数	70,011,258 株 (2021年9月30日現在)	
役職員	35名 (2021年9月30日現在)	
取締役	代表取締役社長CEO	松山哲人
	研究開発本部長CSO	秋永士朗
	コーポレート本部長	藤本浩治
	社外	岡野光夫 (東京女子医大 名誉教授・特任教授)
	社外	片岡一則 (東京大学 名誉教授 / iCONM センター長)
	社外	松村淳 (株式会社ウィズ・パートナーズ 代表取締役社長)
	社外	飯野智 (株式会社ウィズ・パートナーズ 取締役COO兼Co-CIO)
	社外	長谷川由紀 (株式会社ウィズ・パートナーズ ヘルスケア・インベストメント・ヘッド)
	監査等委員	宮嶋勝春
	監査等委員 社外	中山美恵子 (悠綜合法律事務所 パートナー弁護士)
監査等委員 社外	川井隆史 (ハンズオン・CFO・パートナーズ株式会社 代表取締役社長)	

自社開発中のパイプライン



品目	対象疾患	非臨床	ph1	ph2	ph3	開発地域	パートナー
VB-111	卵巣がん					日米欧 イスラエル	共同開発(導入) VBL therapeutics
※パクリタキセルとの併用治療 (遺伝子治療製品)							
ENT103	中耳炎					日本	共同開発 CEOLIA
※新規耳科用抗菌薬							
NC-6004 シスプラチンミセル	頭頸部がん					欧州 台湾	共同開発 (導出) 友華股份有限公司 Orient Europharma Co., Ltd.
※免疫チェックポイント阻害剤 (キイトルーダ) との併用治療							
NC-6300 エピルビシンミセル	軟部肉腫					米国	
※血管肉腫に対象を絞り、第 I 相 part expansion cohort (例数追加試験) を実施中							
NC-6100 PRDM14 (siRNA)	乳がん					日本	医師主導治験 がん研有明病院
TUG1 (ASO)	膠芽腫					日本	共同研究 名古屋大学
※AMED採択 2020年4月～							
RUNX1 (mRNA)	変形性膝関節症					日本	PrimRNA AXCELEAD
※AMED採択 2021年4月～							

後期臨床パイプラインに関する契約状況



2017年11月3日

- VBL社よりVB-111の供給を受け、日本の開発および販売を担当
- VBL社に対して、契約一時金15百万米ドルを支払う
- 開発ステージが一定の段階に進んだ時点で一定のマイルストーンを支払い、上市後は売り上げに応じたロイヤリティを支払う



2018年6月14日

- セオリアが所有する開発候補品の共同開発を行う。
- 製造販売承認の取得および販売を早期に開始するため、当社の臨床開発ノウハウやセオリアの耳鼻咽喉科領域における知見を活かし、相互に協力し推進する

✓ 販売体制について現在検討中であることから、現時点においては、上市後の経済条件は未定



2012年11月7日

- NC-6004のアジア地域での開発及び販売権、非独占的製造権をOEP社に付与
- 開発費はOEP社が負担し、開発はOEP社が主体となり、共同開発として当社は協力する
- OEP社は開発段階に応じたマイルストーン最大8億円および、上市後は販売数量に応じたマイルストーンを支払う
- 当社は製造に必要な原料を供給し、その対価をOEP社は支払う

2018年7月20日

- 欧米地域を含み日本を除く地域における免疫チェックポイント阻害剤との併用による頭頸部がん限定した開発権をOEP社に付与
- OEP社は開発段階に応じたマイルストーン総額8百万米ドルおよび、共同ライセンスアウト後の収益に応じたロイヤリティを当社に支払う

※今後の導出入契約内容に影響することから、契約ごとの詳細な金額等については秘密保持契約により非開示ですが、できる限りの開示に努めております。7

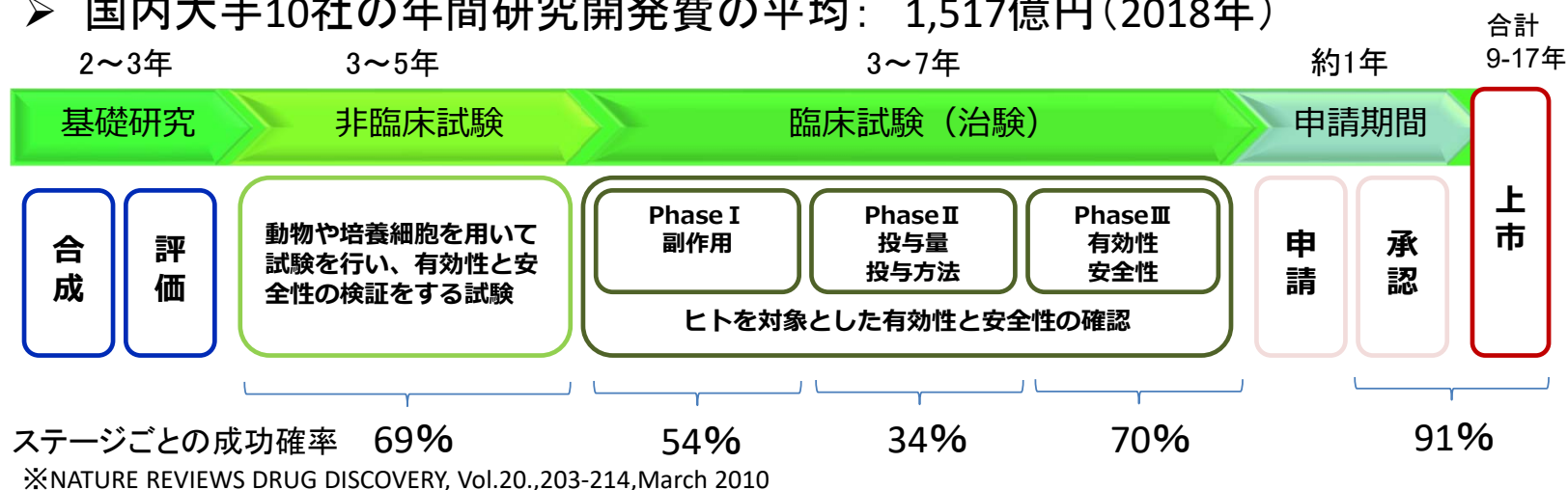
ビジネスモデルと市場環境



医薬品の開発

- 成功確率(医薬品承認取得): 22,407分の1
- 国内大手10社の年間研究開発費の平均: 1,517億円(2018年)

てきすとぶつく製薬産業2020-2021



ビジネスモデル



- ① 自社創生品及び導入製品(ライセンスイン)などの臨床開発を行い、自社販売することによる収入の確保
- ② 当社が開発を進める製品の開発/販売権を他社へライセンスアウト
⇒ 共同開発費や、契約一時金、所定の開発段階におけるマイルストーンおよび上市後の医薬品販売高に対するロイヤリティ等を受領

日本のがん統計

- 死亡者数 376,425人 (男性:220,339人, 女性:156,086人) 2019年
- 新たな罹患数 980,856例 (男性:558,874例, 女性:421,964例) 2018年

部位ごとの死亡者数 (2019年)

	男性 (死亡者数)	女性 (死亡者数)
1	肺 (53,338)	大腸 (24,004)
2	胃 (28,043)	肺 (22,056)
3	大腸 (27,416)	膵臓 (18,232)
4	膵臓 (18,124)	胃 (14,888)
5	肝臓 (16,750)	乳房 (14,839)
		卵巣 (4,733)
	頭頸部 (5,504)	頭頸部 (2,260)
	脳・中枢神経系 (1,631)	脳・中枢神経系 (1,219)

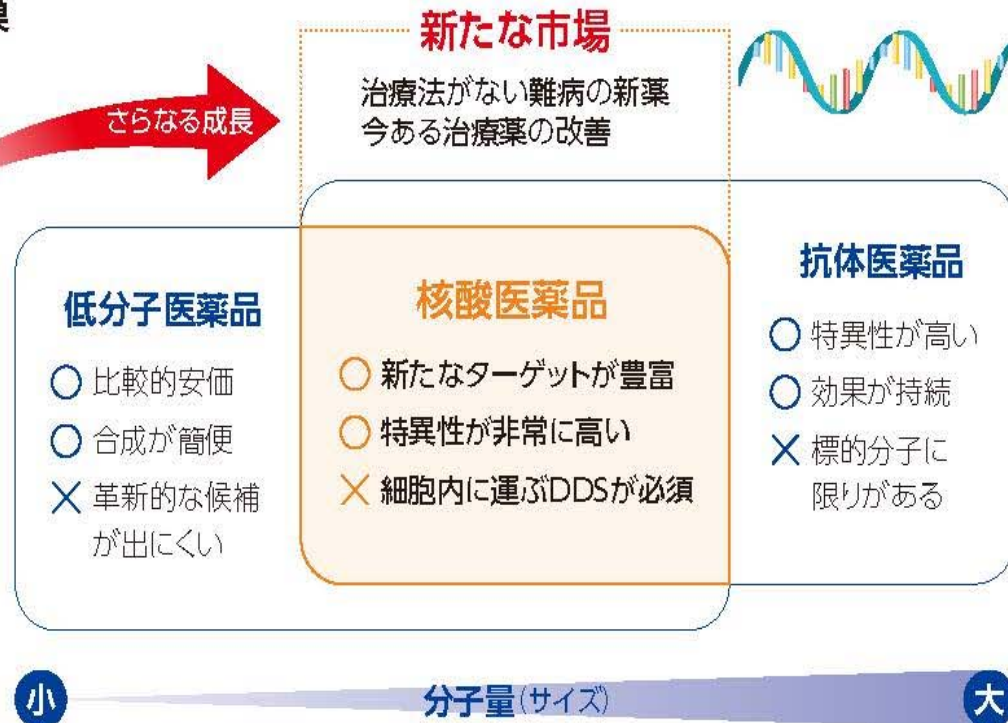
※女性では、40歳代で乳がんや子宮がん、卵巣がんなどの罹患が多くを占めており、高齢になると消化器がんや肺がんが増加する。

新しい市場を形成

核酸医薬品の位置づけと世界市場規模



※シード・プランニング、アーサー・デイ・リトル調査資料より
当社作成



抗がん剤

全世界で2020年に約144億米国ドルを売上げた免疫チェックポイント阻害薬キートルーダなど近年画期的な新薬が上市されるなどにより世界的に市場拡大を続けています。世界中の製薬企業やバイオベンチャーにより抗がん剤の開発が行われており、成分/疾患/効果/副作用において、常に競合状態にあります。臨床試験において標準治療と比較して有効性を示すことで市場を獲得できます。また、がん治療においては、既存薬と新薬を併用する治療方法を確立することが一般的で、その相乗効果により市場を獲得することができます。

核酸医薬

低分子や抗体医薬では標的化がしにくく、治療薬が無い/開発が難しいとされた疾患に対する治療法を提供するなど、核酸医薬は新たな市場を創造するポテンシャルを有します。mRNAなどの核酸医薬は、未だ上市された製品はわずかであり、急速に開発が進む新しいモダリティとして注目されています。核酸医薬の成功には患部に薬剤を運ぶDrug Delivery System (DDS)の確立が必須であり、自社独自のDDS技術を保有し研究開発実績を持つ数少ない国内企業であり、これが競争力の源泉となっています。

競合環境および競争力の源泉

新しいモダリティを創造し、新しい市場を切り開く

マーケット戦略/開発戦略

治療法がないなど競合が比較的少ないとされる領域に特化した開発戦略を進めています。がん患者10人のうち2人は数が少ないため受療上の課題が他のがん種に比べて大きいと言われる希少がんであり、若い世代に多いと言われています。治療法がないなど市場性を持ちながらも市場規模的に大手製薬企業が手を付けにくい疾患に対し、最先端技術を活用した製品による新しいモダリティとして市場に提供し、新たな市場を開拓するとともに、社会に貢献します。

成長戦略



1 後期臨床開発に集中→ライセンスアウト/承認申請の加速による早期収益化

1

- 第3相 ・ VB-111 (遺伝子治療製品 : 最先端治療として世界同時承認)
- ・ ENT103 (耳鼻科領域 : 国内患者向けの新薬を市場に投入)
- 第2相 ・ NC-6004 (製品価値向上 : 免疫チェックポイント阻害剤との併用療法)

2 核酸創薬を推進→新しいモダリティ技術でパイプライン拡充

2

- ・ NC-6100 (PRDM14 siRNA) : 切除不能又は再発乳がん
- ・ TUG1 ASO : 膠芽腫 (悪性脳腫瘍)
- ・ RUNX1 mRNA : 膝軟骨再生 (変形性膝関節症)

3 M&Aや提携の推進→収益化に向け、新しい発想で医薬品市場を切り開く

3

- ・ グローバルで最先端治療
- ・ オープンイノベーションによる多様な革新的技術の取り込み
- ・ 次世代モダリティ技術による創薬事業の拡大

収益化を重視した活動を積極的に推進

- 開発品の承認申請とライセンスアウトを加速し早期収益化
- M&Aや提携を推進し、創薬事業を拡大し、新たな収益の柱に育成

これまでの実施例

アキュルナ社を吸収合併

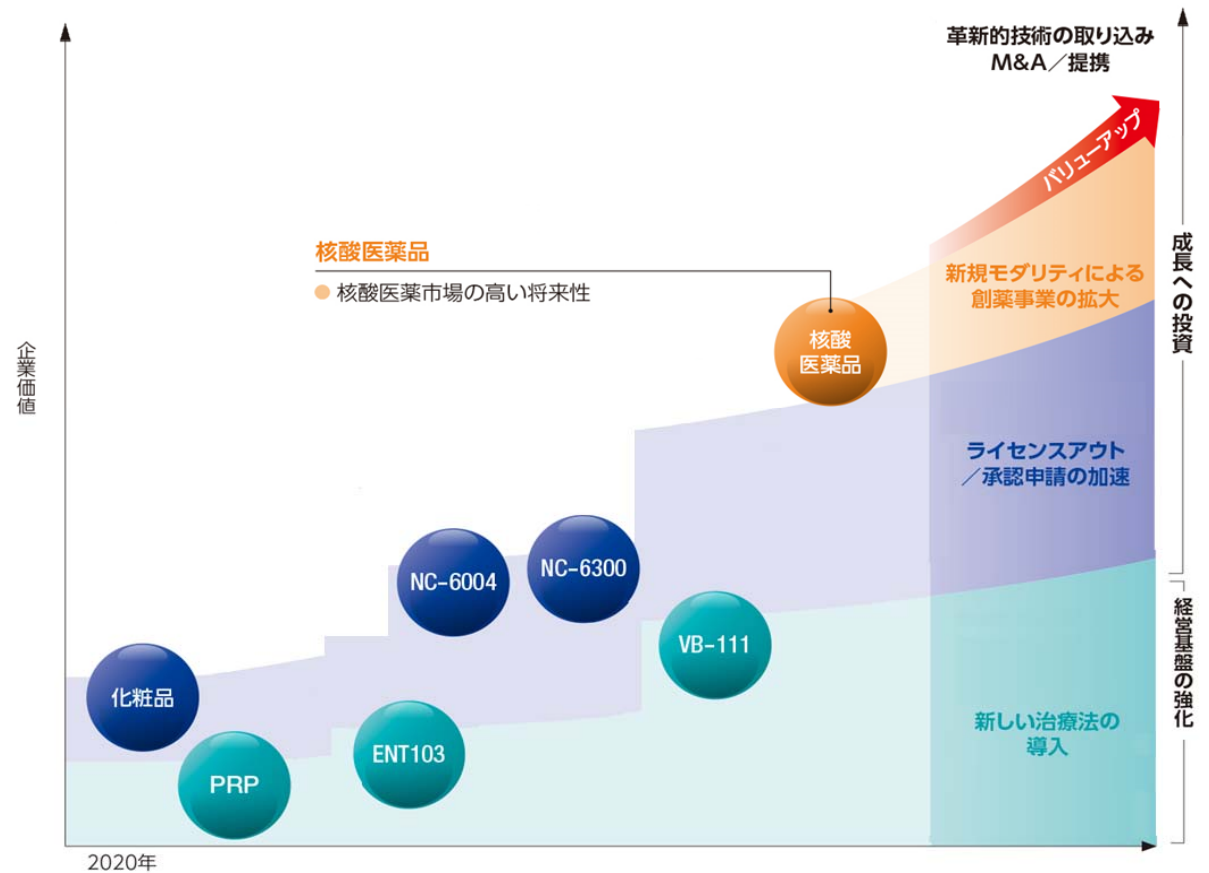
＜核酸医薬＞

これまでに狙えなかった標的を
ターゲットにした
新しい治療法を提供

VBL社からライセンスイン

＜VB-111＞

後期ステージにありながらも、
市場規模的に大手企業が手を
付けにくい最先端技術製品



(単位：百万円)	2021年3月期実績	2022年3月期予想	増減
売上高	313	228	(84)
売上原価、販管費及び一般管理費	1,616	2,033	417
内：研究開発費	1,173	1,530	357
営業（損失）利益	(1,302)	(1,804)	(502)
経常（損失）利益	(1,278)	(1,751)	(473)
当期（純損失）純利益	(2,835)	(1,734)	1,101

売上（予想）減少要因

NC-6004の開発が最終に近づき、共同開発契約上のマイルストーンが減少

主な売上構成比	2021年3月期実績	2022年3月期予想
共同研究契約	58%	50%
商品/原料等の販売	41%	49%

研究開発費（予想）の増加要因

臨床開発の順調な進捗に伴う増加

- NC-6004の臨床開発(124例)が進捗中
今期中に患者登録完了予定
- VB-111の臨床開発(30例)が進捗中
今期中に患者登録完了予定

主な研究開発費構成比	2021年3月期実績	2022年3月期予想
VB-111	10%	15%
ENT103	12%	10%
NC-6004	36%	55%

2022年3月期第2四半期 貸借対照表



(単位：百万円)	2021年3月31日 (A)	2021年9月30日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	6,402	6,629	227
その他流動資産	499	532	33
固定資産	918	1,034	115
資産合計	7,820	8,197	376
転換社債型新株予約権付社債	—	1,150	1,150
その他負債	320	456	135
純資産	7,499	6,591	△908
資本金及び資本剰余金	10,260	10,297	37
利益剰余金	(2,835)	(3,811)	△975
その他有価証券評価差額金	(8)	66	74
新株予約権	83	37	△46
負債・純資産合計	7,820	8,197	376

成長戦略3つのポイントを推進するための資金として

- 資本・事業提携・新規事業費用
- パイプラインの臨床開発費用および新規モダリティの研究開発費用

➤ 第5回無担保転換社債型新株予約権付社債

予約権総数	:	40個
発行株式数	:	普通株式 3,733,766株
転換価額	:	308円
資金調達額	:	1,150,000,000円
支出予定期間	:	～2023年12月
資金使途	:	M&Aや提携の推進

割り当て先：
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合
(株式会社ウィズ・パートナーズ)

➤ 第19回新株予約権

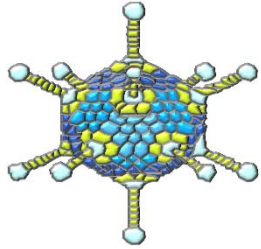
予約権数	:	97,402個
潜在株式数	:	普通株式 9,740,200株
行使価額	:	308円
現在までの調達額	:	0円 (全て行使された場合の調達額：2,992,903,660円)
支出予定期間	:	～2023年12月
資金使途	:	核酸医薬の推進 (2,000百万円) M&Aや提携の推進 (992百万円)

割り当て先：
THEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合
(株式会社ウィズ・パートナーズ)

パイプラインの進捗状況



VB-111 : 2つの抗腫瘍作用をもつユニークな遺伝子治療製品

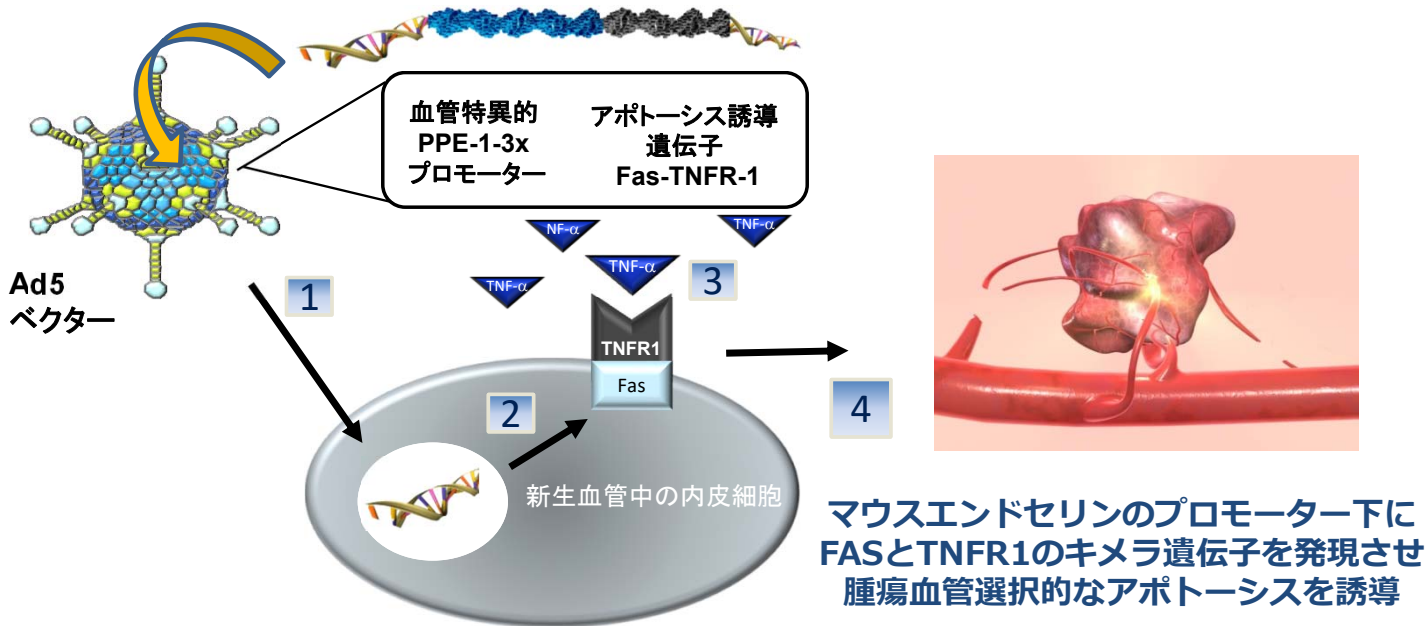


- 非増殖型アデノウイルスベクター
- 全身投与型の注射剤
- 腫瘍血管内皮細胞選択的にアポトーシスを誘導
- 腫瘍免疫惹起

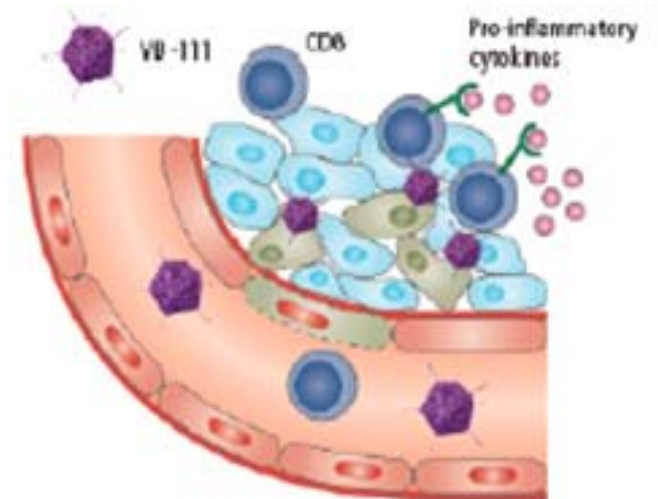


- 米国を中心とした開発状況**
- ✓ **卵巣がん**
国際共同第Ⅲ相
 - ✓ **大腸がん**
NCI共同第Ⅱ相
 - ✓ **悪性神経膠芽腫 (rGBM)**
医師主導第Ⅱ相

① 選択的に腫瘍血管内皮細胞のアポトーシスを誘導



② 腫瘍内に侵入、免疫反応を惹起する



2017年11月 国内開発・販売権をVBL社より取得

開発のPOINT

世界の最先端技術を国内に展開
第Ⅲ相試験から開始することで治療法のない疾患に新たな治療法を短期間で提供する

プラチナ製剤抵抗性卵巣がん

国内の卵巣がん罹患数は年間1万人を超え、死亡者数は年間約5千人に達する（出典：厚生労働省 人口動態調査）。約2-3割の患者で、治療中またはプラチナ製剤投与後6か月以内の増悪/再発が認められ、プラチナ製剤抵抗性再発卵巣がんと判断される。本疾患は、標準治療がないため、新たな治療法の開発が強く求められている

国際共同第Ⅲ相臨床試験概要



対象疾患：プラチナ製剤抵抗性卵巣がん
開発地域：米国、イスラエル、欧州、日本
被験者数：400例（内：国内は30例を予定）
 VB-111+パクリタキセル群 200例
 プラセボ+パクリタキセル群 200例
評価項目：全生存期間（OS）
 無増悪生存期間（PFS）
登録完了：2021年度内(予定)
 PFSの結果取得：2022年後半（予定）
 OSの結果取得：2023年（予定）

進捗状況

世界：2021.11.15 340例以上登録済み
(85%以上)

国内：2021.6.10 患者登録開始
2021.12.2 22例（73%）登録済み

2021.6.4 ASCO発表（VBL社）

主要評価項目に、PFS（無増悪生存期間）追加

- OSより1年ほど早く取得でき、良好な結果であればFDAとの協議により製造販売承認申請時期の前倒しを見込む

開発のPOINT

四半世紀ぶりの本格的な治験実施により耳鼻科領域へ新規医薬品を投入し、QOL改善に貢献
抗がん剤と比べて開発の難易度を低下させ、早い段階で収益に貢献

セオリアファーマと共同開発

✓ 新規耳科用 点耳抗菌薬

既存点耳抗菌薬の置き換えを狙う

中耳炎

WHOによると、世界の4200万人の聴覚障害(3年以上)の主な原因は中耳炎とされている。国内患者調査によると、2017年10月指定日で中耳炎患者は22万人と報告され、高齢化が進むにつれ、患者数が増加すると予測。現在、耳科領域において治療薬の選択肢が少ないことが課題。

第Ⅲ相臨床試験概要

対象疾患： 持続する膿性耳漏（耳だれ）を有する中耳炎患者

開発地域： 日本

被験者数： 200

評価項目： 有効性

- ①中耳及び鼓膜の炎症に対する効果
- ②耳だれ停止までの期間
- ③耳だれ中に含まれる細菌に対する効果
- ④耳だれの性質

 CEOLIA

耳鼻咽喉科領域に特化した製薬会社は日本にはセオリアファーマ以外にはなく、医薬品の開発・製造・販売事業に取り組み、「抗アレルギー剤」「抗菌剤・抗ウイルス剤」「めまい治療剤」など、耳鼻咽喉科領域で必須とされている基礎的医薬品を中心に、18製品を武田薬品の流通網で販売しています。

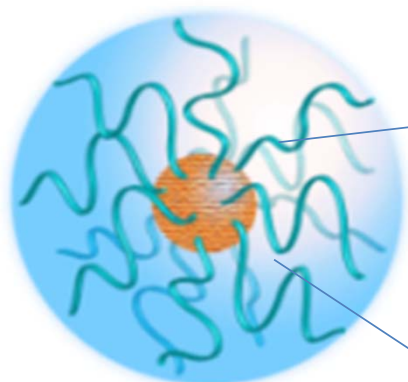
進捗状況

2021.5.31 患者登録完了

2021.9. 1 主要評価項目達成

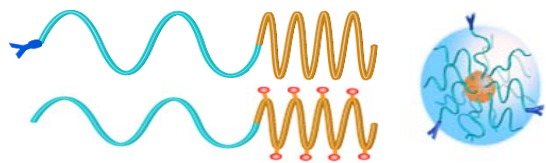
- 2022年春ごろを目途に製造販売承認申請
- 販売体制検討中

ミセル化ナノ粒子



平均
30-100nm

ADCM (Antibody/Drug-Conjugated Micelle)



NanoCap™

- 物理吸着型
- 静電結合型

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



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

放出コントロールと
血液中の滞留性向上

Medicelle™

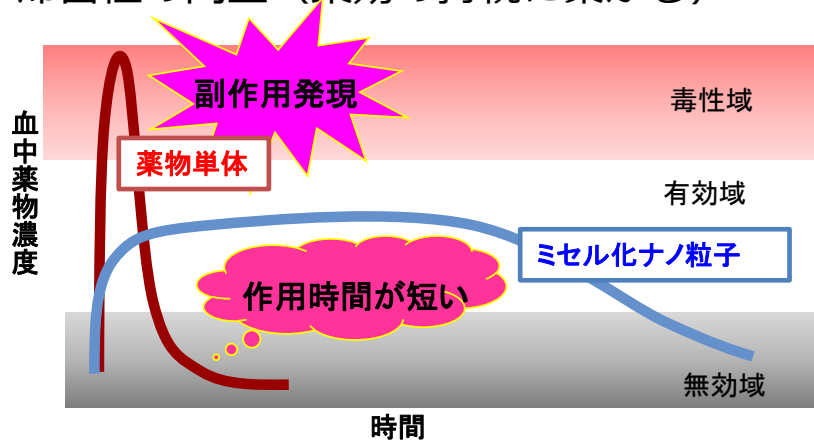
溶解性に優れる

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

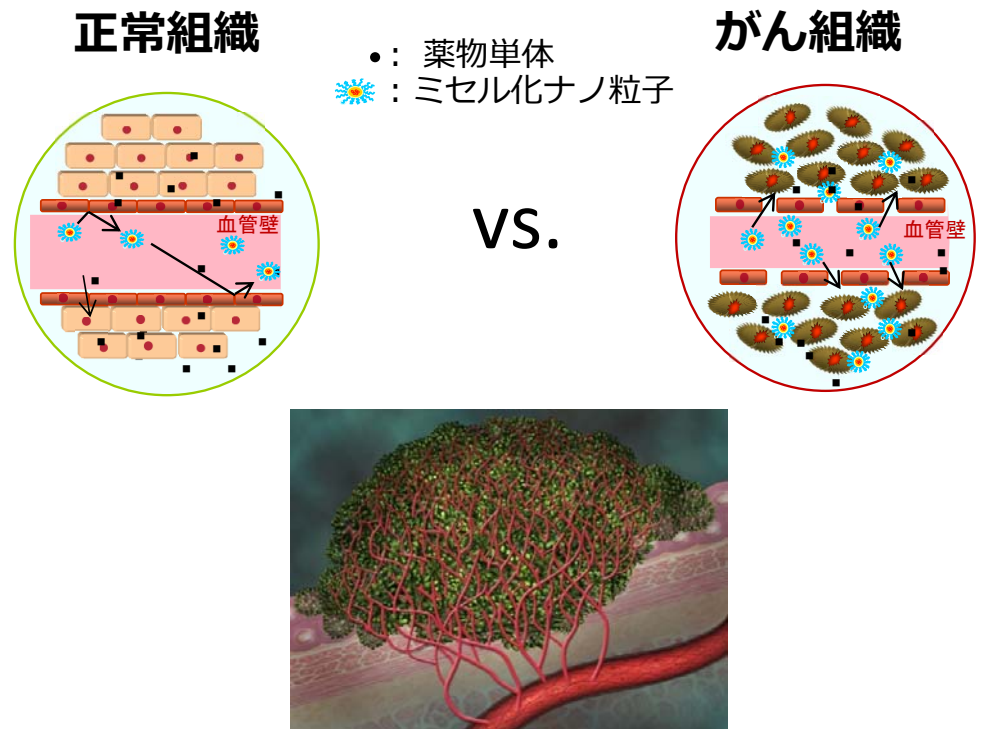
放出コントロールに優れる

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



開発のPOINT

がん治療の中心薬剤となった免疫チェックポイント阻害剤（ICI）キイトルーダ®とNC-6004の併用。ICI併用の臨床試験が世界で2000以上も実施され、ICIの併用薬への関心が非常に高い。

新規併用療法の確立を目指す

1. 米国等で実施した第I相においてPt抵抗性の再発/転移・頭頸部がん症例で抗腫瘍効果確認
2. 免疫チェックポイント阻害薬は再発/転移・頭頸部がん承認されている（単剤療法）
3. シスプラチンと免疫チェックポイント阻害薬の併用による有効性は他のがんでも報告がある

頭頸部がん

がん患者の5%程度が頭頸部がんと言われており、年間死亡者数は国内約8千人、欧州約5万人、東南アジア約13万人（出典：2018年 世界の抗癌剤市場）。鼻・副鼻腔がん、耳下腺がん、舌がん、歯肉がん、喉頭がん、甲状腺がんなど種類が非常に多く、呼吸や咀嚼など生きるうえで欠かせない機能を担い、直接QOLに影響する。治療では、シスプラチンがkey drugであり、顔面維持や表情形成など社会生活上の配慮が必要とされる。

第II b相臨床試験概要

対象疾患： プラチナ抵抗性再発/転移・頭頸部がん
 開発地域： 欧州、台湾
 被験者数： 124例
 キイトルーダ+NC-6004群 62例
 キイトルーダ単独群 62例
 投与開始： 2020年11月
 評価項目： 無増悪生存期間（PFS）

進捗状況

2021.12.17 目標症例数124例（100%）を達成

半年～1年程度で
 トップラインデータを取得する予定

対象疾患：プラチナ抵抗性再発/転移・頭頸部がん

16例が登録され、90 mg/m²~135 mg/m²まで順次増量し、評価。

安全性

- ペンブロリズマブ併用時における安全性プロファイルは良好であり、用量制限（DLT）は認められなかった
- 重篤な有害事象が認められた症例は1例（6.3%）であった
- 最大耐用量（MTD）は特定されず、推奨投与量（RD）は135 mg/m²に決定した

有効性

- 部分奏効（PR）は4例で認められ、**奏効率（ORR）は25%**、病勢コントロール率は87.5%であった
- **無増悪生存期間（PFS）中央値は4.1か月、全生存期間（OS）中央値は10.4か月**であった
- 推奨投与量（RD）である135 mg/m²の6症例においては、治療が継続しており、未だ全生存期間（OS）中央値を算出する状況にない

- 抗腫瘍活性データは、ペムブロリズマブ単独治療の第Ⅲ相データと比較し、高い値を示しました（Keynote-040、ORR：14.6%、PFS 2.1か月、OS 8.4か月）
- これらの結果は、セカンドラインの頭頸部がんにおけるペンブロリズマブと併用したNC-6004の比較試験（第Ⅱb相）において優位性を示す可能性が示唆されました

開発のPOINT

希少がんである軟部肉腫を対象に米国にてオーファンドラッグ指定・血管肉腫を対象にファストトラック指定
治療法のない領域に革新的な新たな医薬品を提供

軟部肉腫

脂肪、筋肉、血管などの軟部組織に発生する。米国成人の年間患者数は約1.3万人と推定される希少がん（出典：米癌学会）。そのうちの数%が血管肉腫と言われ、治療法がなく、5年生存率が10%以下と著しく低い。進行が早く、転移もしやすいなど悪性度が高い。

血管肉腫 例数追加臨床試験 成績概要

- Expansion Cohortに登録された血管肉腫10例中3例がPR（奏効）を示した。
奏効率（ORR）30%、無増悪生存期間（PFS）中央値5.4か月。
 - 先に米国で実施されたPhase Ibで登録された血管肉腫患者2例を加えると、
ORRは42%、PFS中央値は7.3か月。
- 参考データ：血管肉腫の日常診療で使用されるパクリタキセルの臨床試験結果（ORR：19%、PFS中央値：4か月）と比較して良好

例数追加臨床試験概要

対象疾患： 血管肉腫
開発地域： 米国（Duke Cancer Center
Sarcoma Oncology Center）
症例数： 10例
投与開始： 2019年10月
評価項目： 有効性および安全性の確認
(NC-6300 150mg/m²)

進捗状況

2021.5 ASCO

成績発表済み

**※一部のPRの患者様に対する
試験薬の投与が継続中**

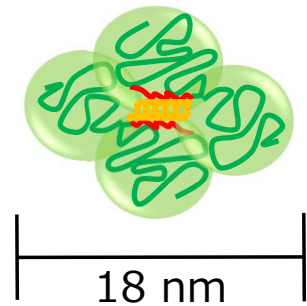
2021年6月

Fast Track designation

ライセンス交渉を積極化

For short chain RNA

ユニットポリイオン複合体 Unit PolyIon Complex [uPIC]



➤ **siRNA**: NC-6100 (PRDM14)

➤ **ASO**: TUG1

血中滞留性の向上

siRNA : 2本鎖



ASO: 1本鎖



分岐鎖ポリエチレングリコール

親水性

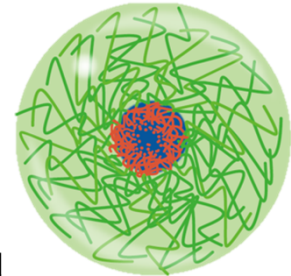


ポリアミノ酸
カチオン性

YBC polymer
(分岐鎖PEG結合型ブロックカチオマー)

For mRNA

ポリプレックスミセル



40~80 nm

mRNAの
サイズに依存

➤ **mRNA**: Runx1

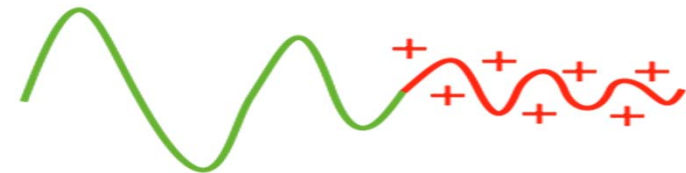
滞留性の向上

mRNA



ポリエチレングリコール

親水性



ポリアミノ酸

カチオン性

Target

PRDM14 : 転写因子。乳がんを高発現し、幹細胞性に関係。
siRNAによるPRDMの抑制により、がん（幹）細胞の成長抑制を期待

乳がん

女性が患う最も多いがん腫。11人に一人の女性が罹患すると言われるが、早期発見により比較的完治する。

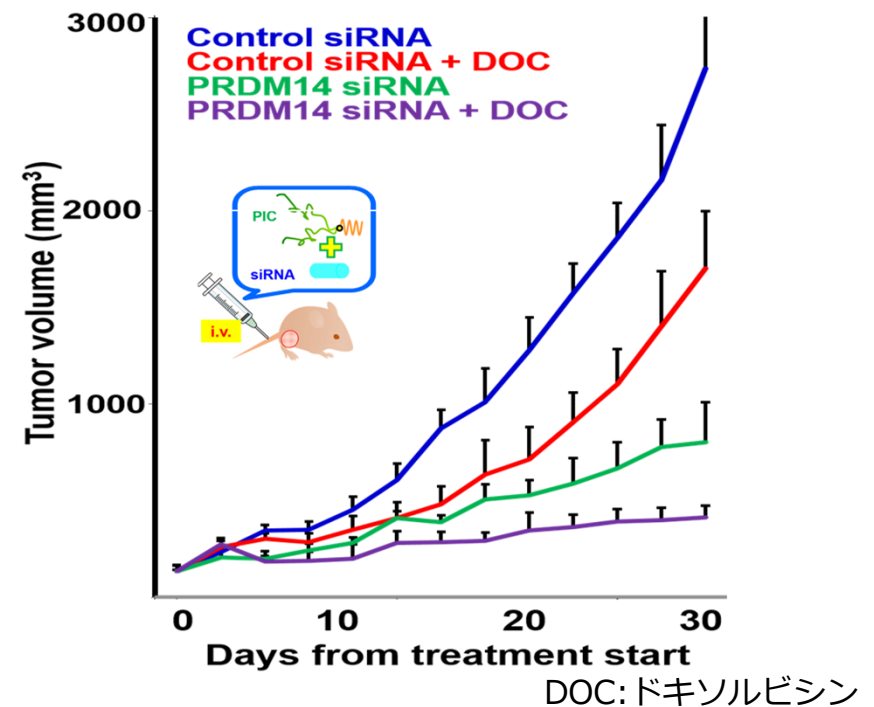
(出典：厚生労働省 人口動態調査)

しかしながら、乳がんの中でも 20~25% のHER2陰性のトリプルネガティブ乳がんは治療法が限られており、再発率が30%-50%と高く、再発後の生存率が著しく低下する傾向で、新たな治療法が求められる。

医師主導第 I 相臨床試験概要

対象疾患 : 切除不能又は再発乳がん (HER2陽性は除外)
目的 : 推奨投与量の決定および安全性/有効性の確認
 主要評価項目) 安全性、忍容性
 副次評価項目) 薬物動態、有効性
症例数 : 15例 (最大27例)
投与開始 : 2020年9月
試験実施者 : がん研有明病院

PRDM14 siRNA/YBCポリマー複合体(uPIC) の
トリプルネガティブ乳がん (TNBC)
同所移植モデルに対する抗腫瘍活性



Target

TUG1 : 膠芽腫に高発現し、膠芽腫のがん（幹）細胞の維持および生存に必要な分子として同定
 がん（幹）細胞におけるTUG1のASOによる抑制は、複製ストレス/DNA損傷を誘導し細胞死に直結

膠芽腫（こうがしゅ）

脳腫瘍の一種で、神経膠腫（グリオーマ）の中でも最も悪性の腫瘍。5年生存率は10%以下と言われ、新たな治療法が強く求められている疾患。

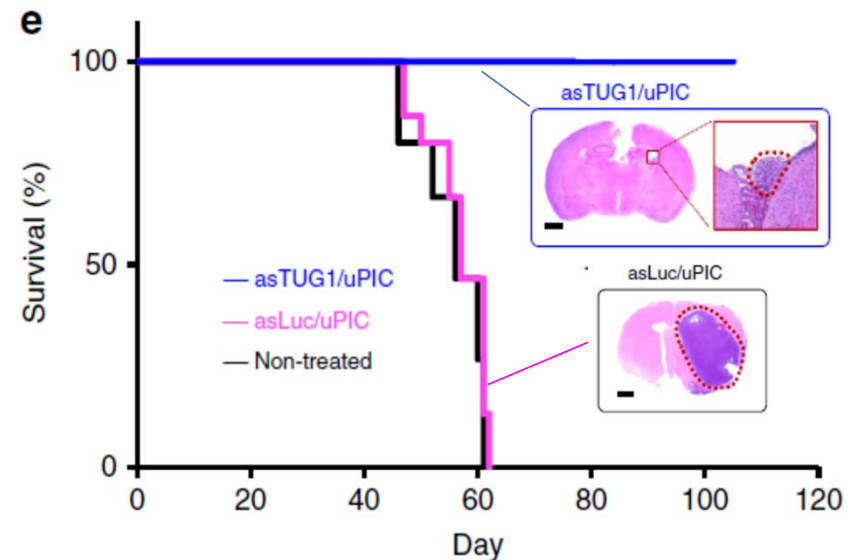
日本国内での脳腫瘍の発生頻度は年間に約2万人、そのうち10%強が膠芽腫。（出典：脳腫瘍全国集計調査）

膠芽腫に対するアンチセンス核酸治療薬の実用化に向けた非臨床研究を推進

日本医療研究開発機構革新的がん医療実用化研究事業
 （1 課題当たり年間上限77,000 千円、原則3 年度）

研究開発期間： 2020 年4 月-2023 年3 月
 研究開発代表者：名古屋大学 大学院医学系研究科 近藤豊先生
 ナノキャリは研究分担機関として参画

TUG1 ASO/YBCポリマー複合体(uPIC) の膠芽腫同所移植モデルに対する抗腫瘍活性



Watanabe, et al., Nature Commun., 10:1894, 2019.
 Taniguchi, et al., Oncotarget. 8: 46856-46874, 2017

Target

RUNX1 : 軟骨誘導性転写因子

間葉系細胞、軟骨前駆細胞から軟骨細胞への分化および増殖を誘導

変形性関節症 Osteoarthritis (OA)

寝たきりの原因の10%を占める

有病率 : 全人口の約10%、国内推計患者数1000万人以上

手術を要する重症例 : 年間8万例以上

出典 : 厚生労働省「患者調査の概要」

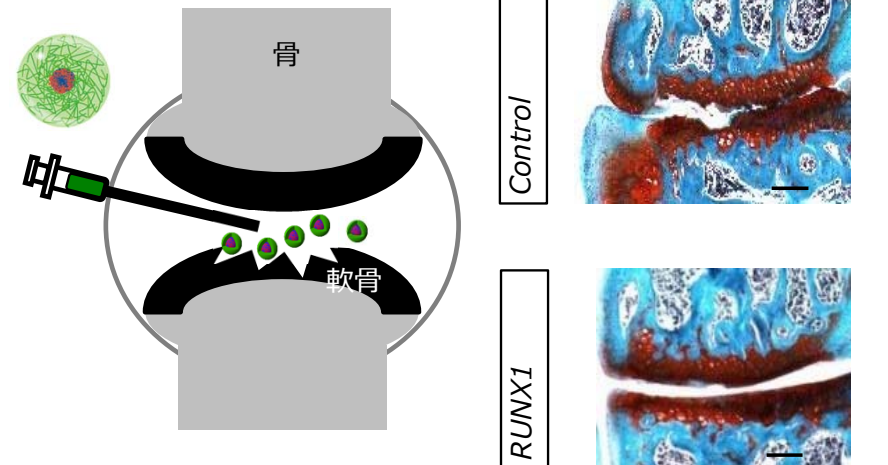
mRNA医薬のGMP製造を確立/第I相臨床試験を実施し至適用量決定を目指した開発を推進

日本医療研究開発機構 医療研究開発革新基盤創成事業
(スタートアップ型 : 1 課題当たり上限10億円まで)

実施内容

- RUNX1のmRNA/ナノミセル製剤の製造法確立
- 非臨床試験
- 医師主導による第I相臨床試験 (2023年度予定)

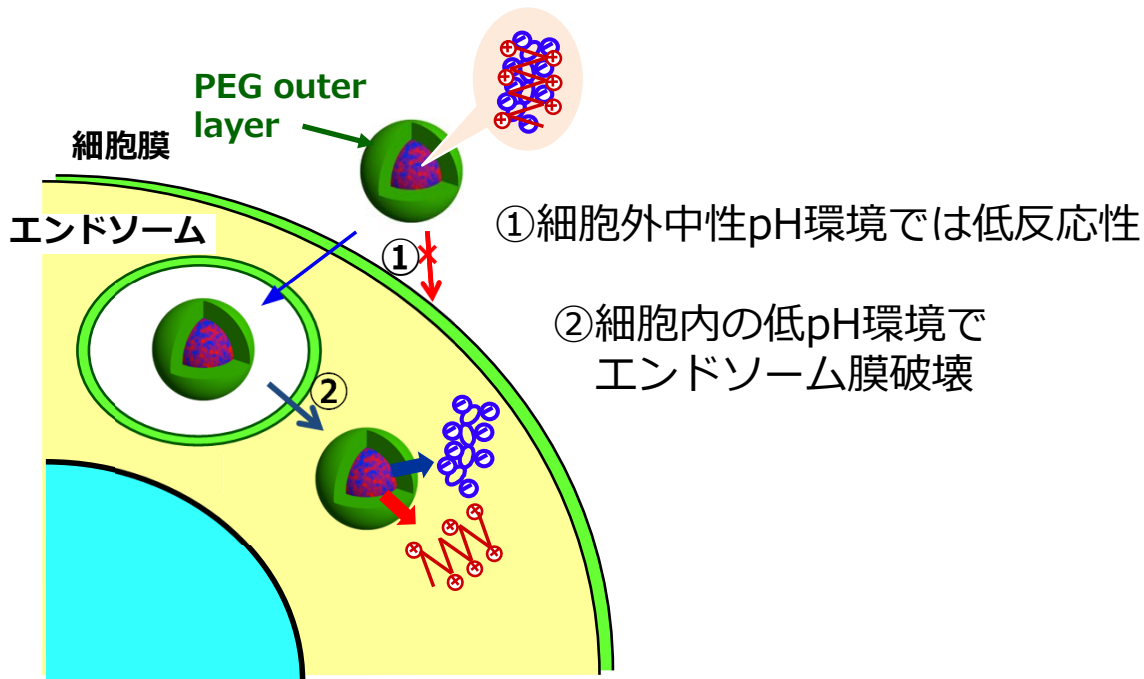
ミセル内包の軟骨誘導性転写因子「RUNX1」
膝関節内直接投与後の膝関節の病理組織像 (マウス)



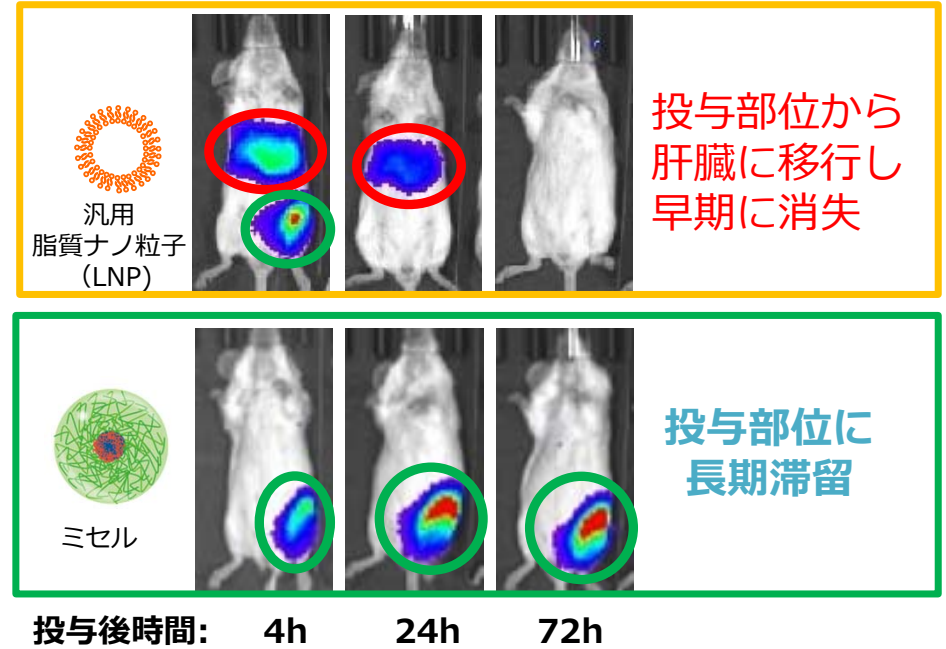
医科歯科大・位高教授らの研究から
Aini et al., Sci Rep 6:18743,2016

■ 細胞内の低pHに反応しmRNA放出

細胞内の低pH環境で側鎖末端構造が変化し
内包核酸のエンドソーム脱出を促進



■ 効率的かつ持続的なタンパク質発現



ルシフェラーゼのmRNAをポリプレックスミセルに
包埋しマウス筋肉内に1回投与した際のデータ

CiCLE 日本医療研究開発機構 医療研究開発革新基盤創成事業
(スタートアップ型：1 課題当たり上限10億円まで)

目的 : mRNA医薬を用いた変形性関節症 (OA) に対する革新的な機能維持治療法の開発

代表機関 : 株式会社 PrimRNA

分担機関 : 東京医科歯科大学 : 位高啓史教授 (生体材料研究所), 古賀英之教授 (医学部 運動器外科)
東京大学 : 田中 栄教授 (医学部整形外科学)

実施内容 : ● 軟骨の分化・増殖転写因子RUNX1のmRNA/ナノミセル製剤の製造法確立
● 非臨床試験
● 医師主導による第 I 相臨床試験

mRNA医薬のGMP製造を確立/第 I 相臨床試験を実施し至適用量を決定

株式会社 PrimRNA (プライムルナ)

設立 : 2021年4月1日

住所 : 東京都中央区京橋1-4-10 大野屋京橋ビル

役員 : 代表取締役社長 藤澤朋行 (所属 : アクセリード株式会社 代表取締役社長)

取締役研究開発担当 吉田哲郎 (所属 : ナノキャリア株式会社 研究部 部長)

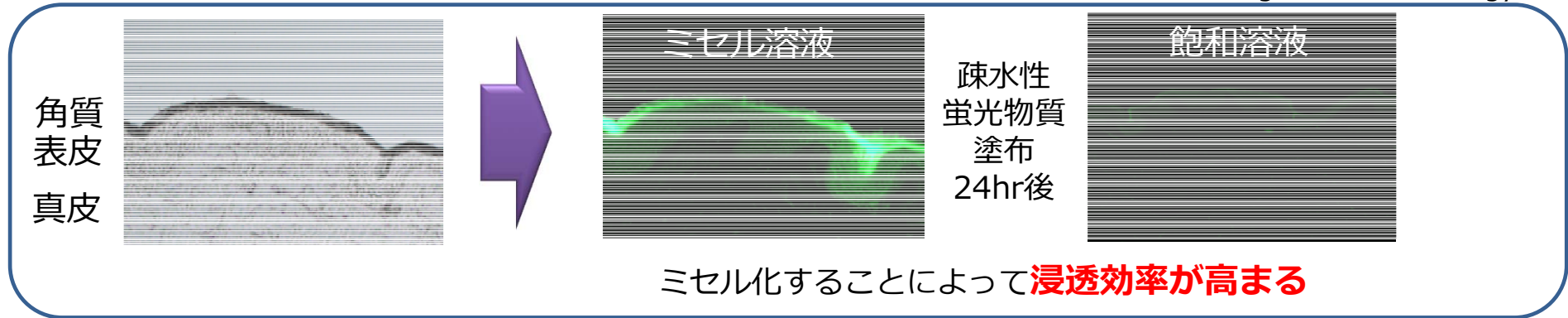
取締役 栗原朋也 (所属 : ナノキャリア株式会社 知的財産部長)

化粧品への応用:ミセルの皮膚浸透性に着目



ミセルの皮膚に対する浸透性

2018年 International Investigative Dermatology



医薬部外品承認原料 約90製品に配合 (2021年9月)

化粧品配合実績例

例) 共同開発: 株式会社アルビオン



エクラフチュール
ECLAFUTUR



ホワイトニング
イマキュレート エッセンス IDD
WHITENING IMMACULATE ESSENCE IDD



SCALP CARE
DEPTH
TECHNOGEIS

PRP (多血小板血漿) 治療とは

打撲・捻挫や傷の自然治癒過程には、血液の中に含まれる"血小板"の中に含まれる成長因子が重要な役割を果たしています。PRPには傷んだ組織を元通りに直そうとする自己の組織修復機能を有しているため、PRPを局所に注入し、"早期治癒"や"疼痛の軽減"効果をもたらす治療法として欧米では頻繁に行われています。

難治性不妊症に対するPRP療法成績

対象者：36名（平均年齢 39.7 歳、子宮内膜厚 平均5.86mm）、過去に平均3.3 回の不妊治療を行っており、全例が子宮内膜の菲薄化のために胚移植がキャンセルになった既往者

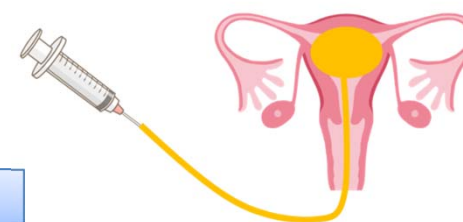
- ✓ PRP 投与によって、子宮内膜は1.27mm増加した。胚移植を実施できたのは32 例、妊娠が5 例（15.6%）に認められた。
- ✓ 有害事象は認められなかった。

2019.8 第37 回受精着床学会総会にて成績発表（山王病院）

産婦人科PRP研究会会員施設を対象に
Acti-PRP の販売活動を実施



Acti-PRP (血球細胞分離器)



事業のリスク



主なリスク

パイプライン開発 臨床試験段階における有害事象の発生等による開発中止や遅延等の可能性

当社が意図しない提携解消、ライセンスアウトに至らない、又はライセンスアウトできたとしても当社の望む契約条件に満たない等の可能性

資金調達

新薬の開発には長期にわたり多額の研究開発投資を要するため、営業キャッシュ・フローがマイナスの状態が継続

研究開発が計画通りに進捗する保証はないため、研究開発の遅延等が生じ、研究開発資金に不足が予想された場合には新たな資金調達が必要

リスク対応策

当社は、これまで培ってきた当社独自のDDS技術に基づいて構築した研究開発パイプラインについて多面的な優先順位付けによる絞り込みを定期的に行い、成功確率が高く、かつ早期収益化の見込めるパイプラインに集中して開発を推進しています。

これにより、当該パイプラインの開発の進捗、競合品、医療ニーズ及びトレンドなどの変化へ機敏な対応が可能となりプロジェクトのリスク管理に役立てるとともに、経営資源の効率的な投入、プロジェクト管理の徹底及び強化、その他コスト削減策の実施等により支出を抑制しています。

一方、M&Aや提携により開発後期ステージにある治療薬を獲得する、オープンイノベーションの活用により新しいモダリティや創薬シーズを獲得し新規パイプラインを創製するなどにより、切れ目のないパイプラインの構築・維持によりリスク分散を図っています。

また、資金調達が必要となった場合に備え、効果的かつ効率的な資金調達手段を常に検討しております。

※ その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

本資料は通期決算発表後(5月)および事業計画を見直した際に最新の内容を開示いたします。



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。

Contact

ナノキャリア株式会社 社長室
東京都中央区京橋1-4-10 大野屋京橋ビル
TEL: 03-3241-0553