2020年11月17日

各　　位

会 社 名：ナノキャリア株式会社
代表者名：代表取締役社長　松山　哲人
（コード:4571　東証マザーズ）
問合せ先：社長室　IR担当　土屋　千映子
（TEL：03-3241-0553）

＜マザーズ＞投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

○ 開催状況

開催日時	2020年11月16日（月）15：30-16：30
開催方法	双方向によるオンライン開催
開催場所	東京都中央区京橋1-4-10 大野屋京橋ビル ナノキャリア株式会社会議室
説明会資料名	2021年3月期第2四半期決算説明会

【添付資料】

投資説明会において使用した資料

以上

NanoCarrier®

ナノキャリア株式会社

東証マザーズ4571

2021年3月期
第2四半期決算説明会

2020年11月16日（月）

1. トピックス
2. 2021年3月期第2四半期決算概要
3. 自社技術パイプライン
4. 導入パイプライン

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

トピックス「成長に向けた事業活動」

1．経営体制の刷新

- 優先順位の明確化と臨床開発のスピードアップ
  →早期のライセンスアウト/承認申請に集中
- 新規パイプラインの拡充
  →オープンイノベーションによる新しい技術の取り込み

2．既存の臨床開発（NC-6004 頭頸部がん 等)に集中

- 早期のライセンスアウト/承認申請に向けたデータ収集強化
- 臨床サポートの研究に集中
- NC-6004と免疫チェックポイント阻害剤との併用療法を最優先

3．遺伝子治療製品VB-111の国際共同第III相臨床試験へ日本も参画

- 早期収益化に向けた世界同時承認への取り組み
- 中間解析の良好な結果を踏まえた日本の参画
- グローバルで最先端の新しい治療法の取り込み

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

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・研究所　千葉県柏市若柴 東京オフィス　東京都中央区京橋 iCONMラボ　神奈川県川崎市川崎区殿町	
子会社	NanoCarrier US　Danville, VA	
資本金	328 百万円　（2020年9月30日現在）	
発行済株式総数	69,882,158　株　（2020年9月30日現在）	
役職員	44名（2020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　※旧 アキュルナ株式会社　代表取締役社長
	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）
		片　岡　一　則　（東京大学　名誉教授・特任教授）
		ミシュラ　マニッシュ　（株式会社Bridge&Sun 代表取締役社長）
監査役	社外	野　口　勘四郎　（元化合物安全性研究所　常務取締役総務部長）
		森　嶋　　正　（森嶋公認会計士事務所　代表　公認会計士）
		中　山　美恵子　（悠綜合法律事務所　　弁護士）

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

アキュルナ株式会社を吸収合併（2020年9月1日）

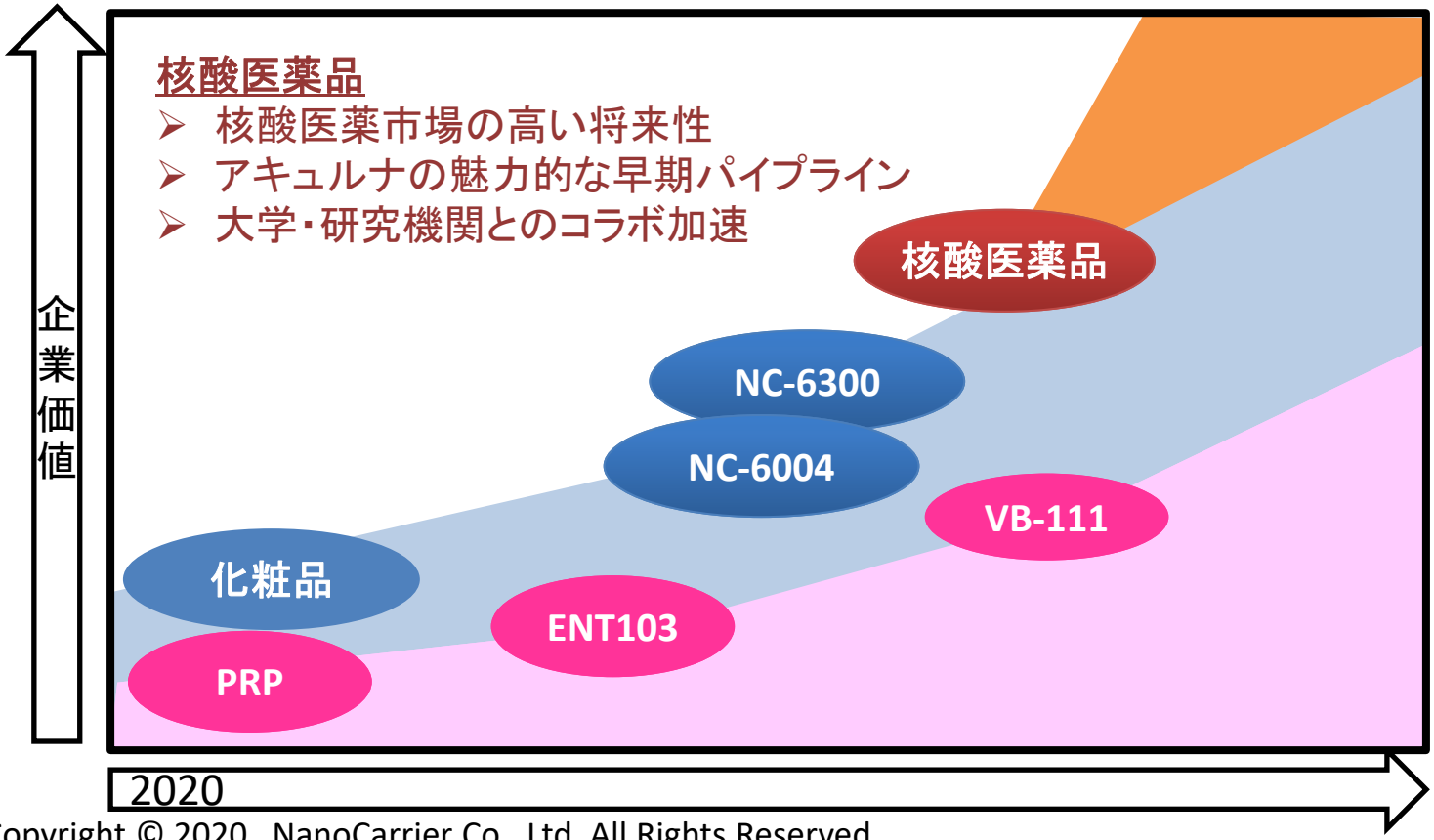
- 核酸分野の強化
- 将来を見据えたパイプラインの獲得
- オープンイノベーションの活性化



Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

アキュルナ合併による企業価値へのインパクト

	NanoCarrier®		AccuRna
開発品	抗がん剤	相互補完	核酸医薬品
基盤技術	ミセル化ナノ粒子		新規ミセル
パイプライン	後期パイプライン		早期パイプライン
スキル・体制	臨床開発・CMC		アカデミア創薬



成長性
～新技術～

成長性
～コア技術～

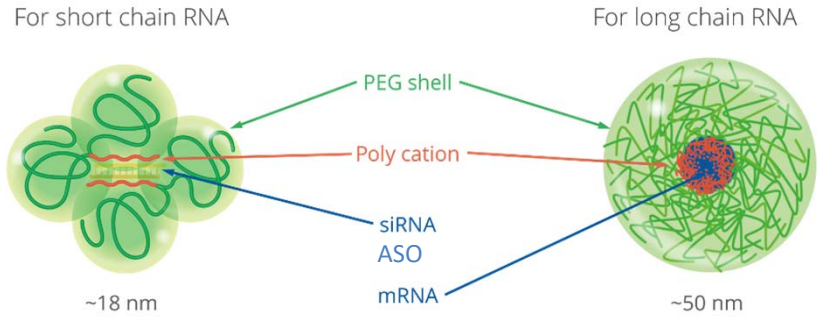
経営基盤
の強化

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

先端医療　核酸医薬の取り込み

核酸医薬品
低分子医薬や抗体医薬では標的にできなかった細胞内分子に対して特異性高く作用することを特徴として、核酸を用いた医薬品です。

がんや遺伝性疾患に対する革新的な治療薬になると期待されていますが、血中安定性が課題とされています。**DDS技術により、生体内での安定性を向上し、核酸医薬品の有効性を高める**ことができ、患者さんに負担の少ない治療を実現することが期待できます。



ＹＢＣポリマー　　ポリプレックスミセル

主要な抗がん創薬プロジェクト

ターゲット	核酸種類	対象疾患	基礎	非臨床	PI	PII	PIII	共同研究/核酸由来
PRDM14	siRNA	TNBC&HER2(-) 乳がん			医師主導治験 2020.9　FPI			がん研有明病院 /慶応大/東大医科研他
TUG1	ASO	膠芽腫		AMEDに採択 2020年4月-2023年3月				名古屋大

- **アンチセンスオリゴ（ASO）**：一本鎖DNAまたはRNAからなり、細胞内で相補的な標的RNAに結合し、そのタンパク質への翻訳を阻害します。また、遺伝子のスプライシング部位に結合し、スプライシングを制御することで機能するものもあります。
- **siRNA**：二本鎖RNAからなり、細胞内で標的mRNAを特異的に切断し、その遺伝子発現を阻害します。
- **mRNA**：タンパク質に翻訳され得る塩基配列情報と構造を持ったRNAを人工的に転写合成し、細胞内に送達することで、目的のタンパク質を作らせます。COVID-19などの感染症ワクチンやがんワクチンへも応用が試みられています。

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

抗がん剤　核酸プロジェクト

PRDM14：　転写因子。乳がんに高発現し、幹細胞性に関係。
PRDM抑制は、がん幹細胞の成長を抑制すると期待される

SRN-14/GL2-800　PRDM14 siRNA

【 第1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
評価項目：	安全性、奏効率
症例数：	15例（最大27例）
投与開始：	2020年9月
治験実施者：	がん研有明病院

TUG1：　膠芽腫に高発現し、腫瘍細胞の維持に必要な分子として同定。
がん細胞におけるTUG1抑制は、複製ストレス/ＤＮＡ損傷を誘導し細胞死に導く

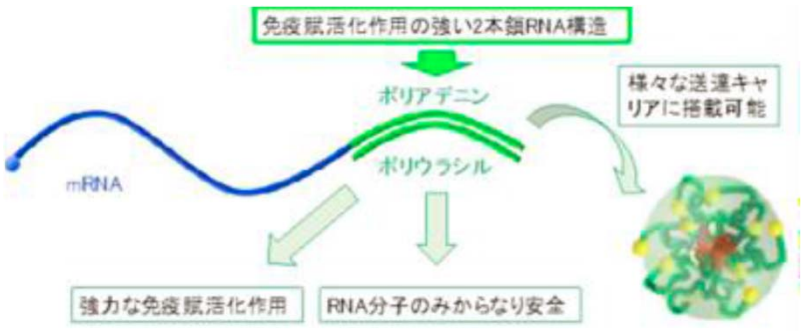
日本医療研究開発機構（ＡＭＥＤ）革新的がん医療実用化研究事業
（1 課題当たり年間上限77,000 千円、原則3 年度）

研究開発期間：　2020 年4 月-2023 年3 月
研究開発課題名：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
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

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

mRNAワクチン（オープンイノベーション：iCONM）

アジュバント一体型mRNAによるワクチン技術



S.Uchida et.al. / Biomaterials 150 (2018) 162-170

- mRNA の末端PolyAにPolyUを相補させ一部2本鎖構造をとらせることで、アジュバント機能を一体化させたmRNA ワクチンを開発
- マウスにおいてmRNA ワクチンの効果が飛躍的に向上、ヒト由来の免疫細胞に対して強い免疫賦活化作用を発現
- さらなる核酸構造の改良とPolyplexMicelleとの組合せ検討中
- がん及び感染症ワクチンへの応用へ

2020年６月４日　iCONMから記者発表
ナノ医療イノベーションセンター（iCONM）と東京都医学総合研究所が、お互いの研究成果を基に、ミセル化ナノ粒子による核酸デリバリー技術を用いた新型コロナウイルスに対するmRNA ワクチンの共同研究開発を開始

本研究成果に基づいた、ワクチンの臨床開発の段階に移行する際、
ミセル化ナノ粒子のＧＭＰ対応等を含めた臨床開発の経験を活かし、
ワクチン開発を進める予定

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

エピルビシンミセル x 腫瘍免疫（オープンイノベーション：iCONM）

2020年8月

iCONM/東京大学大学院工学系研究科バイオエンジニアリング専攻共同研究成果

～悪性脳腫瘍に対する治療効果を飛躍的に高める化学免疫療法を
エピルビシンミセルと免疫チェックポイント阻害剤との併用により実現～

米国化学会誌ACS Nano

Title: Translational Nanomedicine Boosts Anti-PD1 Therapy to Eradicate Orthotopic PTEN Negative Glioblastoma

【要旨】
pH応答性機能を付加したエピルビシン内包高分子ミセルが用いられ、全身投与においても、顕著な副作用の軽減に加え、**脳内で165倍量のエピルビシン送達**が認められました。

内包するエピルビシンの疾患部位での放出により、免疫誘導細胞死を引き起こす作用発現とともに、免疫チェックポイント阻害剤（ICI）を併用することで、ICI単独では効果が低い腫瘍において、これらの相乗効果が得られ、ICIの効果を高めることに成功し、有効な治療法が求められる**悪性の膠芽腫において、延命効果が確認**されました。

https://doi.org/10.1021/acsnano.0c03386

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

パイプライン

製品	対象疾患	ph1	ph2	ph3	販売	開発地域	パートナー
NC-6004 シスプラチンミセル	頭頸部がん	共同開発				欧州 台湾	友華股份有限公司 Orient Europharma Co., Ltd.
NC-6300 エピルビシンミセル	軟部肉腫	自社開発				米国	
SRN-14/GL2-800 PRDM14 siRNA	乳がん		医師主導治験 がん研有明病院			日本	
NK105 パクリタキセルミセル	乳がん	日本化薬				日本	Global "sukima" ideas NIPPON KAYAKU
VB-111 非増殖型 アデノウイルスベクター	卵巣がん	VBL				米国 （**日本参画決定**）	VBL therapeutics
ENT103 耳鼻咽喉科製品	中耳炎	共同開発				日本	CEOLIA
Aeon Acti-PRP 再生医療	難治性不妊 ＰＲＰ療法	臨床研究実施中 自社販売				日本	Aeon International 産婦人科PRP研究会
化粧品	美容液 スカルプケア	共同開発（アルビオン販売）				日本	ALBION

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

1. トピックス
2. 2021年3月期第2四半期決算概要
3. 自社技術パイプライン
4. 導入パイプライン

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

2021年3月期第2四半期　損益計算書

（単位：百万円）	2020年3月期 第2四半期 実績（累計）	2021年3月期 第2四半期 実績（累計）	増(減)
売上高	293	193	(100)
売上原価、販管費及び一般管理費	977	703	(273)
内：研究開発費	内：694	内：462	(232)
営業（損失）利益	(683)	(510)	173
営業外収益/（費用）ネット	(49)	(16)	33
経常（損失）利益	(733)	(527)	206
当期（純損失）純利益	(896)	(2,082)	(1,185)

売上高

- 開発マイルストーン収入、化粧品材料供給収入、PRP事業に係る医療機器売上等

営業損益

- 前四半期に比べ、臨床開発完了等による研究開発費減少等

営業外、特別項目

- 円高による為替差損24百万円
- 吸収合併に伴い発生したのれんの減損損失1,553百万円

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

2021年3月期第2四半期　貸借対照表

（単位：百万円）	2020年3月31日 (A)	2020年9月30日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	7,578	7,149	(429)
その他流動資産	449	429	(19)
固定資産	916	1,082	166
資産合計	8,944	8,662	(282)
負債合計	175	249	73
純資産	8,768	8,413	(355)
資本金及び資本剰余金	12,514	10,260	(2,254)
利益剰余金	(3,818)	(2,082)	1,736
その他有価証券評価差額金	(20)	151	172
新株予約権	93	83	(10)
負債・純資産合計	8,944	8,662	(282)

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

2021年3月期　通期業績予想の修正

（単位：百万円）	2021年3月期 期初予想	2021年3月期 修正予想	増(減)
売上高	338	338	―
売上原価、販管費及び一般管理費	1,833	1,833	―
内：研究開発費	内：1,242	内：1,296	54
営業（損失）利益	(1,495)	(1,495)	―
経常（損失）利益	(1,496)	(1,496)	―
当期（純損失）純利益	(1,490)	(3,043)	(1,553)

概要

- 吸収合併に伴い発生したのれんの減損損失1,553百万円
- 売上高、営業利益及び経常利益については変更なし

⇒アキュルナから引き継いだ研究開発等の費用は、その他の費用の削減等で吸収できる見込み

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

1. トピックス
2. 2021年3月期第2四半期決算概要
3. 自社技術パイプライン
4. 導入パイプライン

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

自社技術　抗がん剤の開発

品目	対象疾患	ph1	ph2	ph3	販売	開発地域	パートナー
NC-6004 シスプラチンミセル	頭頸部がん					欧州 台湾	ライセンスアウト 共同開発 友華股份有限公司 Orient Europharma Co., Ltd.
※Pembrolizumab（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。							
SRN-14/GL2-800 PRDM14 siRNA	乳がん HER2-negative					日本	医師主導治験 （がん研有明病院）
※旧アキュルナ株式会社創生品。							
NK105 パクリタキセルミセル	乳がん					日本	ライセンスアウト Global "sukima" ideas NIPPON KAYAKU

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

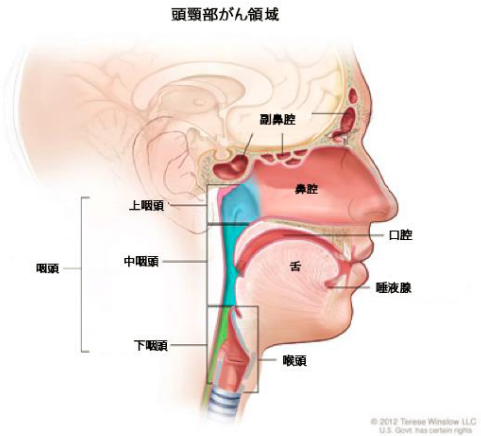
NC-6004 ICI併用　第II相臨床試験

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頭頸部がんで承認されている（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用性には多数報告がある

2020.11
Phase IIbスタート

＜臨床試験概要＞



頭頸部がんを対象とした第II相臨床試験

- 症例数：　140例（予定）　PIIa 16例（完了）
  PIIb 124例（62例：62例）
- 主要評価項目：PIIa) キイトルーダ併用時のNC-6004の推奨投与量の決定
  PIIb) キイトルーダ+NC-6004とキイトルーダ単独投与によるPFS（無増悪生存期間）中央値の比較
- 投与開始：　PIIa)　2019年7月(完了)
  PIIb) 2020年11月

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

頭頸部がん　PIIa 成績概要

＜PIIa part 成績概要＞

16例が登録され、90 mg/m^2～135 mg/m^{2}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。また、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/m^{2}に決定した。

有効性

- 部分奏功 (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）中央値について、試験全体では4.0か月、Phase IIbでの推奨用量である135 mg/m^{2}症例（6例）では5.2か月であった。

- 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）。

- 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（PIIb)において優位性を示す可能性を示しています。

2020.10.24-25　32nd EORTC-NCI-AACR SYMPOSIUM

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

NC-6300（エピルビシンミセル）

1. 米国で実施した第 I 相試験においては、登録された血管肉腫2 例はともにPR（奏効）を示した。

2. エピルビシンは、殺細胞効果に加えて、免疫原性細胞死の誘導作用を有することが報告されている。

3. 軟部肉腫のうち血管肉腫は腫瘍免疫が関与するとの報告がある。

血管肉腫を対象に例数追加試験を実施

開発地域：米国（Duke Cancer Center およびSarcoma Oncology Center）
症 例 数 ：10 例
評価項目：NC-6300（3 週間毎150mg/m^2）の血管肉腫に対する
有効性および安全性の確認
投与開始：2019年10月

2020.10
患者登録完了

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

自社技術　化粧品

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

2010年
e'clafutur-W 美容液:
自社開発/自社販売



2014年
アジアへ海外展開
リフィル発売
大容量発売



2013年
新生eclafutur：
アルビオンとの共同開発商品



2016年
EXCIA AL:
アルビオンとの共同開発商品

SCALP CARE Depth TECHNOLOGIES
アルビオンとの共同開発商品



2016年
男性向け育毛剤製品
ヘルスケア領域への
応用展開拡大



2017年
女性向けへ拡大



リニューアル
2018年10月
eclafutur d



リニューアル
2019年4月
EXCIA AL
イマキュレート

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

1. トピックス
2. 2021年3月期第2四半期決算概要
3. 自社技術パイプライン
4. 導入パイプライン

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

導入パイプライン

導入ポイント

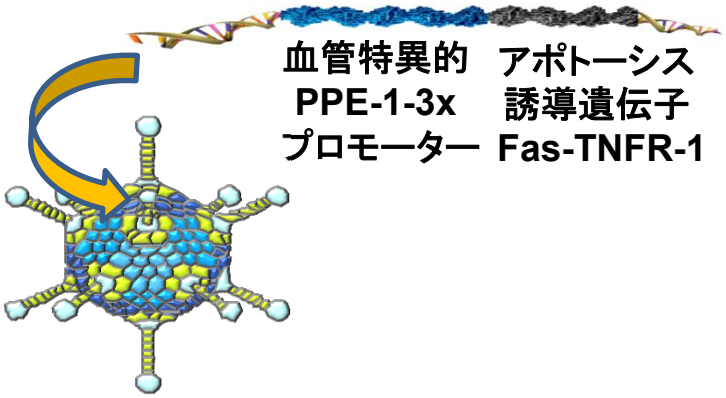
- 販売または販売段階に近い製品
- アンメットニーズ※1
- ニッチマーケット※2
- 独創性など

品目	対象疾患	ph1	ph2	ph3	販売	開発地域	パートナー
VB-111 遺伝子治療薬	卵巣がん	VBL				米国 **日本参画準備中**	VBL therapeutics
ENT103 抗菌薬	中耳炎					日本	CEOLIA
Acti-PRP 再生医療	不妊治療					日本	Aeon International

※1：顧客の潜在的な要求や需要のこと
※2：隙間（穴場）市場発掘のこと

Copyright © 2020 NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

遺伝子治療製品　VB-111



- 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
- 腫瘍免疫惹起作用

ＶＢＬ社の米国を中心とした開発状況

プラチナ抵抗性卵巣がん

- ✓ **パクリタキセルと併用**
- ✓ **国際第3相試験実施中**
- ✓ **2020年3月　1st 中間解析 継続勧告受領**
- ✓ **2020年8月　2nd 中間解析 継続勧告受領**

免疫チェックポイント阻害剤との併用試験

- ✓ 2020年9月　NCI共同第Ⅱ相開始
- ✓ 大腸がん対象

悪性神経膠芽腫（rGBM）

- ✓ 2019年11月　医師主導第Ⅱ相IND申請承認

ナノキャリアの状況

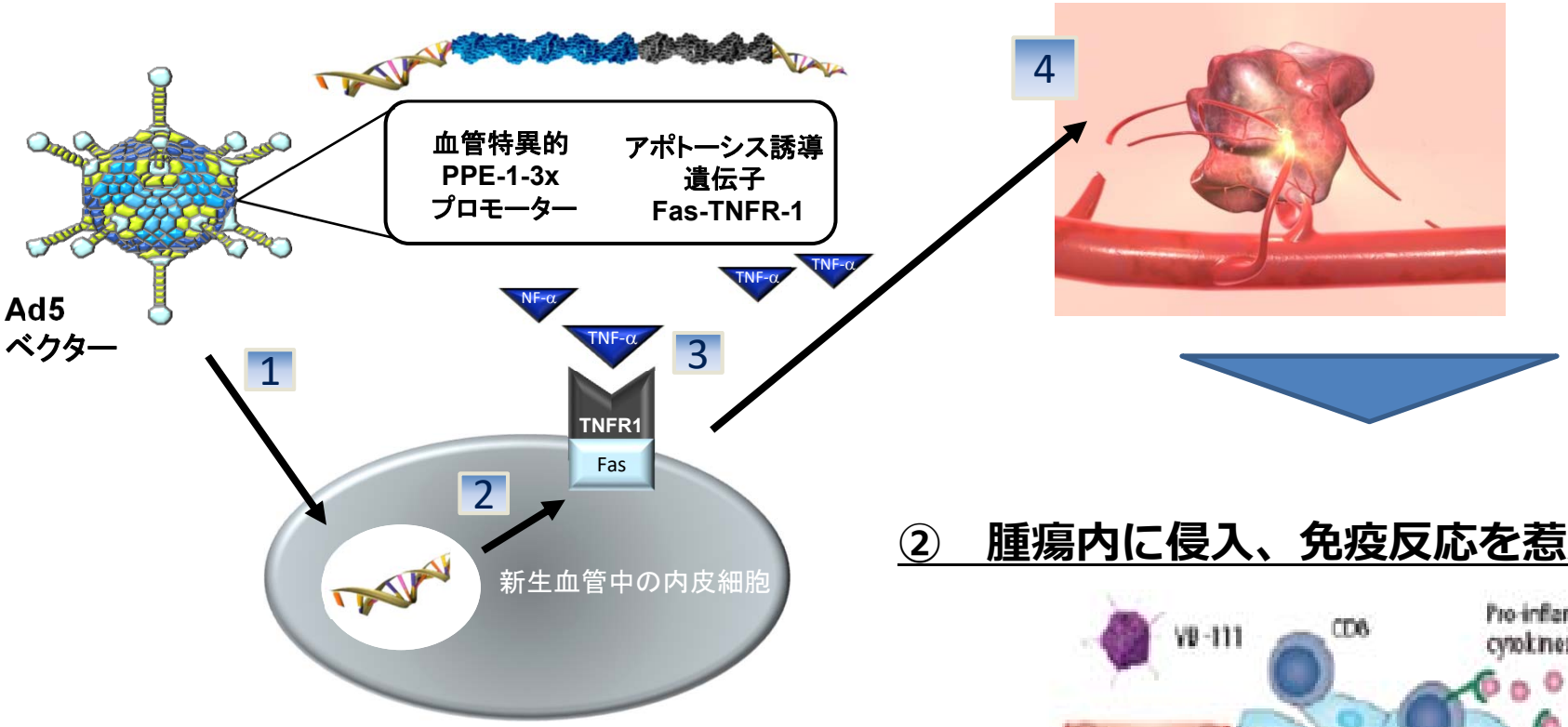
プラチナ抵抗性卵巣がん

- ✓ **パクリタキセルと併用**
- ✓ **国際第3相試験に日本参画を準備中**
- ✓ **2019年11月　カルタヘナ法に基づく第一種使用等承認取得**

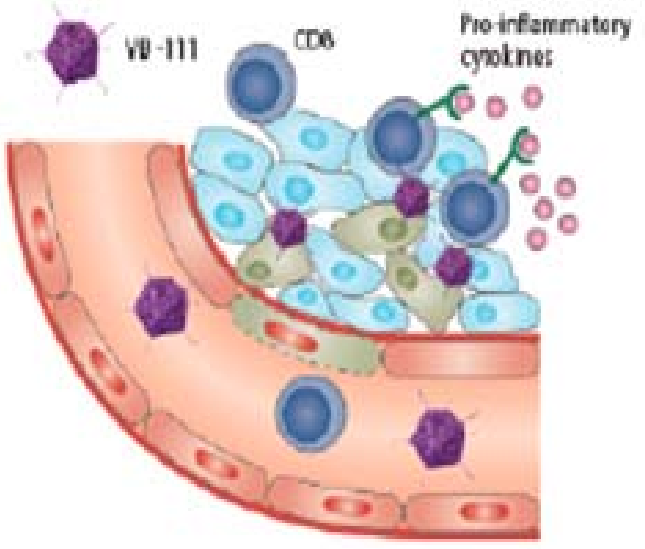
Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

2つの抗腫瘍作用を併せ持つユニークなVB-111

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



1　VB-111 は、静脈内投与された後、血管の内皮細胞に吸収される。

2　新生血管に選択的なセンサ（PPE-1-3xプロモーター）の働きにより、新生血管の内皮細胞の表面上のみにアポトーシス誘導タンパク質（FAS-TNFR-1キメラ受容体）が発現する。

3　腫瘍環境中に富む内因性TNF-αは、FAS-TNFR-1受容体に結合し、新生血管の内皮細胞にアポトーシスをもたらす。

4　結果として、腫瘍を「兵糧攻め」にする。

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

プラチナ抵抗性卵巣がん 国内第3相準備中

VBL社資料より

NanoCarrier®

進行中の第III相臨床試験（ＯＶＡＬ）概要

地域：　米国、イスラエル
予定症例数：　400例（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）
主要評価項目：全生存期間（OS)、無増悪生存期間（PFS）
施設数：　95施設

150例以上登録済み（2020年9月現在）

中間解析　（2020.3.26)
独立データモニタリング委員会は非盲検下でデータをレビュー
→ OVAL試験の継続を勧告

Best Overall CA-125 (GCIG) Response	
評価可能な症例数	60 (100%)
奏効	**32 (53.3%)**
CR: 完全奏功	**9 (15.0%)**
PR: 部分奏功	23 (38.3%)
未奏功	28 (46.7%)

参考）Phase II試験結果　OS中央値：**808日 対 351日　（p=0.067)**
治療用量、ＣＡ125奏功50%以上　vs. 治療用量、ＣＡ125奏功50%以下

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

耳鼻咽喉科領域　ENT103

セオリアファーマと共同開発

対象疾患：中耳炎

✓新規耳科用抗菌点耳薬

国内　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
症例数　：　200例（予定）
投与開始：　2019年5月
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

Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

再生医療領域　不妊治療製品

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ので、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

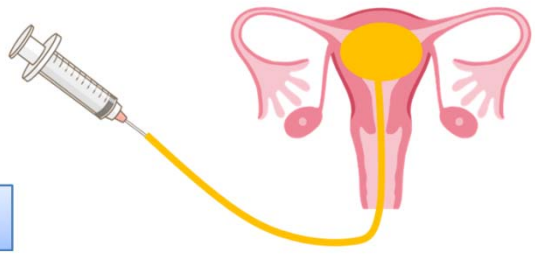
- ✓ **PRP 投与によって、子宮内膜は1.27mm増加した。胚移植を実施できたのは32 例、妊娠が5 例（15.6%）に認められた。**
- ✓ **有害事象は認められなかった。**

2019.8　第37 回受精着床学会総会にて成績発表（山王病院）

当社は、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）



Copyright © 2020　NanoCarrier Co., Ltd. All Rights Reserved.

ありがとうございました

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
TEL:　03-3241-0553