

2021 年 5 月 19 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	2021 年 5 月 18 日 (火) 11 : 00-12 : 00
開催方法	対面および双方向によるオンラインの同時開催
開催場所	東京都中央区日本橋兜町 2 番 1 号 日本証券アナリスト協会会議室
説明会資料名	2021 年 3 月期決算説明会

【添付資料】

投資説明会において使用した資料

以上

東証マザーズ
4571



2021年3月期 決算説明会

ナノキャリア株式会社

2021年5月18日（火）

主催：公益社団法人日本証券アナリスト協会





【沿革】

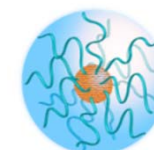
- 1996年 ナノキャリア株式会社設立
- 2000年 本社・研究所設置(千葉県柏市)：本格稼働
- 2008年 東証マザーズ上場
- 2020年 アキュルナ株式会社（核酸医薬）吸収合併
- 2021年 本社移転（東京都中央区）
研究所統合（神奈川県川崎市）

2021年 第3相を含む臨床試験を国内外で実施中

医学/工学を融合（医工連携）による
新しい医薬品の創出へ



東京大学
片岡 一則教授



ミセル化ナノ粒子
技術発明者



東京女子医科大学
岡野 光夫教授

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	328 百万円 (2021年3月31日現在)	
発行済株式総数	69,882,158 株 (2021年3月31日現在)	
役職員	36名 (2021年3月31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)
		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)

2021年3月期 損益計算書



(単位：百万円)	2020年3月期 実績	2021年3月期 実績	増減
売上高	552	313	(239)
売上原価、販管費及び一般管理費	1,658	1,616	(42)
内：研究開発費	内:1,152	1,173	20
営業（損失）利益	(1,105)	(1,302)	(197)
営業外収益/（費用）ネット	(38)	24	62
経常（損失）利益	(1,144)	(1,278)	(134)
特別（損失）/ 利益 ネット	(861)	(1,553)	(692)
当期（純損失）純利益	(2,009)	(2,835)	(826)

特別損益

2020年9月1日付アキュルナ株式会社の吸収合併において発生したのれん1,553百万円を減損損失として計上

2021年3月期 貸借対照表



(単位：百万円)	2020年3月31日 (A)	2021年3月31日 (B)	増（減） (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	7,470	6,402	(1,068)
その他流動資産	449	499	50
固定資産	1,024	918	(105)
資産合計	8,944	7,820	(1,123)
転換社債型新株予約権付社債	—	—	—
その他負債	175	320	145
純資産	8,768	7,499	(1,268)
資本金及び資本剰余金	12,514	10,260	(2,254)
利益剰余金	(3,818)	(2,835)	982
その他有価証券評価差額金	(20)	(8)	12
新株予約権	93	83	(10)
負債・純資産合計	8,944	7,820	(1,123)

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

- 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

- ・ NC-6100 (PRDM14 siRNA)：切除不能又は再発乳がん
- ・ RUNX1 mRNA：膝軟骨再生
- ・ TUG1 ASO：膠芽腫

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

- ・ 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

TOPIX：新会社 PrimRNA 設立



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）

アクセリードとの協業に向けて



アクセリード株式会社 (ウィズ・パートナーズの100%子会社)

医薬品・医療機器の研究開発から製造に渡るバリューチェーンを構築・拡大中、傘下に複数の企業をもつ。

- ◆ Axcelead Drug Discovery Partners株式会社 (ADDP)
武田薬品工業株式会社からスピンアウトした日本最大の統合的創薬プラットフォーム企業
- ◆ 株式会社ALCARIS
mRNA医薬品開発 米Arcturus Therapeutics Inc. との合併で日本初のmRNA医薬品の受託開発製造会社
- ◆ 米Passport Technologies, Inc. (PPTI)
日東電工株式会社からスピンアウトした新しい経皮投与システムを使った医薬品開発企業
- ◆ 株式会社PrimRNA
mRNAを用いた膝軟骨再生治療薬を開発するための当社との合併会社

協業意義

新たなモダリティで医薬品市場を切り開くイノベーションファーマへ成長

- 例) ➤ mRNA医薬品開発について、早期からmRNAに特化したCDMOとの協業
- ミセル化ナノ粒子技術と新経皮吸収システムとの融合
 - ファーストインクラス医薬品となりうるシーズを200以上持つ「ADDP」と有望なプロジェクトの推進

関係強化に向けた第3者割当	3,733,766 株	11.5 億円	(第5回無担保転換社債型新株予約権付社債)
	9,740,200 株	29.9 億円	(第19回新株予約権)

割当先：THEケンコウFUTURE投資事業組合（ウィズ・パートナーズ）

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 (導入) CEOLIA
※抗菌薬 (耳鼻科領域)							
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.
※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							
NC-6100 PRDM14 (siRNA)	乳がん					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製品							
TUG1 (ASO)	膠芽腫					日本	共同研究 名古屋大学
※旧アキュルナ株式会社創製品							
RUNX1 (mRNA)	変形性膝関節症					日本	PrimRNA AXCELEAD
※旧アキュルナ株式会社創製品							

2022年3月期 通期業績予想

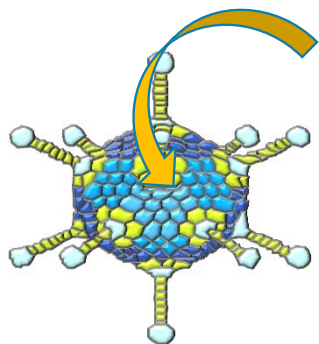


(単位：百万円)	2021年3月期 実績	2022年3月期 予想	増減
売上高	313	228	(84)
売上原価、販管費及び一般管理費	1,622	2,033	411
内：研究開発費	1,173	1,530	404
営業（損失）利益	(1,302)	(1,804)	(502)
経常（損失）利益	(1,278)	(1,751)	(467)
当期（純損失）純利益	(2,835)	(1,734)	1,101

研究開発費

VB-111/NC-6100の臨床試験開始等により1,530百万円を見込んでおります

遺伝子治療製品 VB-111



血管特異的
PPE-1-3x
プロモーター

アポトーシス
誘導遺伝子
Fas-TNFR-1

マウスエンドセリンのプロモーター下に
FASとTNFR1のキメラ遺伝子を発現させ
腫瘍血管選択的なアポトーシスを誘導

- 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

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Ⅲ相試験実施中
- ✓ 2021年2月 3rd 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)

- ✓ 2021年3月 医師主導第Ⅱ相開始

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
- ✓ 2019年11月 カルタヘナ法に基づく第一種使用等承認取得
- ✓ 2020年11月 国内 治験計画届提出

2021年5月現在

国際共同第Ⅲ相臨床試験に日本参画
患者リクルート開始

VB-111 第Ⅲ相臨床試験



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: 完全奏効	9 (15.0%)
PR: 部分奏効	23 (38.3%)
未奏効	28 (46.7%)

国際共同第Ⅲ相臨床試験概要

対象疾患：プラチナ抵抗性卵巣がん
開発地域：米国、イスラエル、欧州、日本
症例数：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年度中（予定）
試験完了：2023年6月（予定）

進捗状況 世界：260例以上登録済み
(2021年5月11日現在)

国内状況：12施設を予定 (2021年5月12日現在)

リクルート中 新潟県立がんセンター
北海道大学病院

契約締結済み 防衛医科大学校病院
国立がん研究センター中央病院
愛媛大学医学部附属病院
がん研究会有明病院
国立がん研究センター東病院

IRB申請準備中 5施設

セオリアファーマと共同開発

✓ 新規耳科用点耳抗菌薬

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
症例数： 200例
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

進捗状況

26施設でリクルート中

190例登録済み
(2021年5月12日現在)

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効性は他のがんでも報告がある

第Ⅱb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
症例数： 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

50例登録済み
（2021年4月末現在）

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

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

例数追加臨床試験概要

対象疾患： 血管肉腫
開発地域： 米国
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)

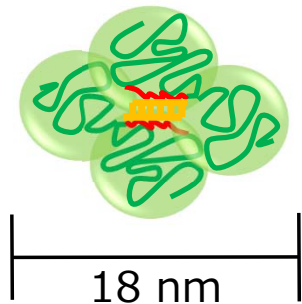
進捗状況 登録完了（2020年10月）

米国施設 Duke Cancer Center
Sarcoma Oncology Center

解析結果をASCO2021で発表予定

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

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



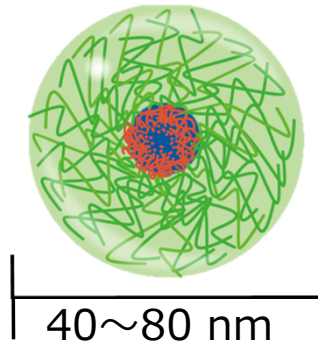
ポリアミノ酸
カチオン性

YBC polymer
(分岐鎖PEG結合型ブロックカチオマー)

血中滞留性の向上

For mRNA

ポリプレックスミセル



mRNAの
サイズに依存

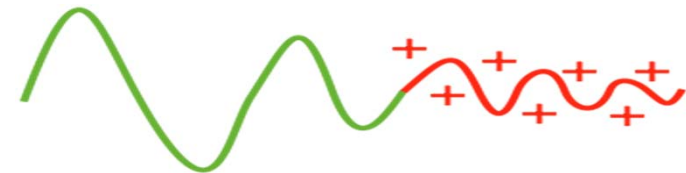
➤ **mRNA**: Runx1

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

滞留性の向上

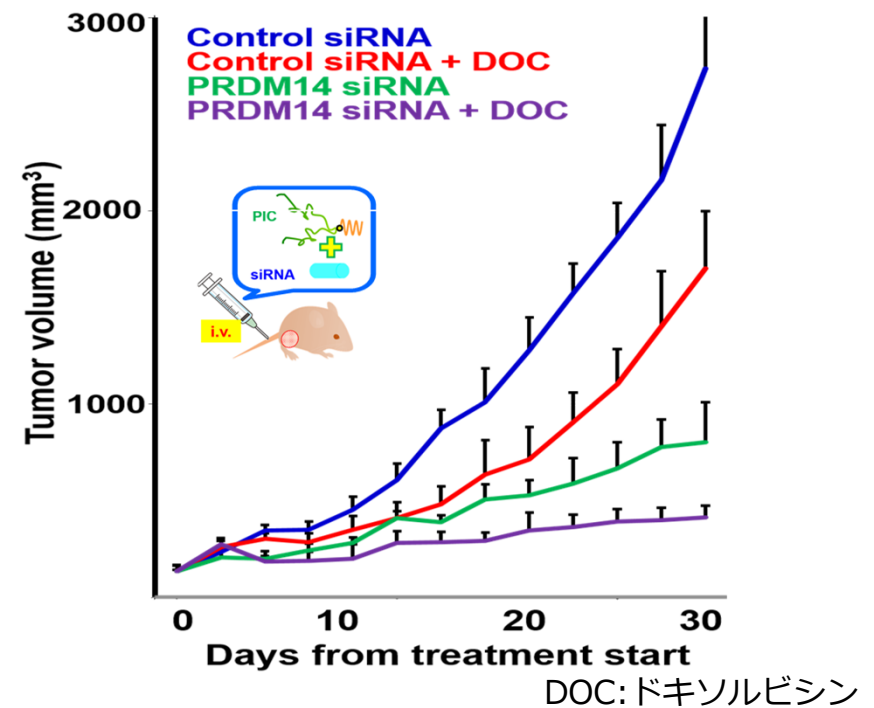
Target

PRDM14 : 転写因子。乳がんを高発現し、幹細胞性に関係。
PRDMのsiRNAによる抑制は、がん（幹）細胞の成長を抑制することが期待される

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

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）

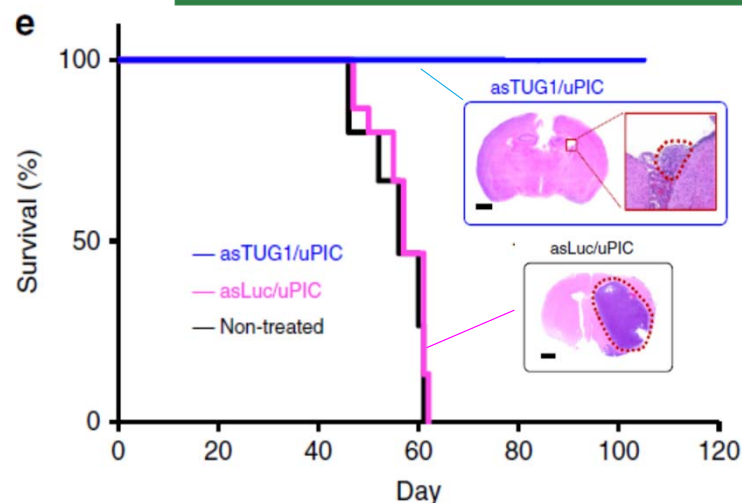
研究開発期間： 2020 年4 月-2023 年3 月

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

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

■ 感染症ワクチン

SARS-CoV-2 mRNA vaccine

BNT162b BioNTech/Pfizer [FDA/EMA/MHLW approved]

mRNA-1273 Moderna [FDA/EMA approved]

■ がんワクチン

Moderna (mRNA-4157), BioNTech (BNT311), : neo-antigen mRNA vaccine for cancer

■ 局所再生医療

Karolinska/Astra Zeneca/Moderna : VEGF-A for heart failure (AZD8601)

TMDU/PrimRNA (Nanocarrier) : RUNX1 for osteoarthritis

■ 遺伝子欠損希少疾患（遺伝子治療の代替）

Moderna : Propionic acidemia (PA) mRNA-3927,
Methylmalonic acidemia (MAA) mRNA-3705,

Translate Bio: Cystic fibrosis (CFTR) MRT5005

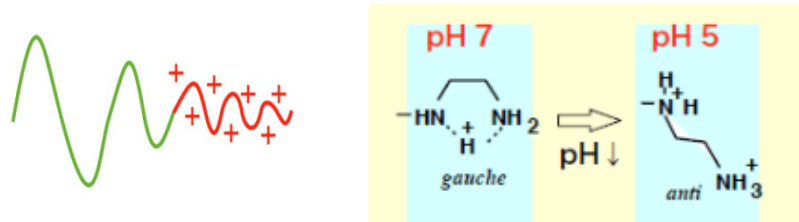
■ ゲノム編集

Intellia: mRNA for Cas9, Transthyretin Amyloidosis (NTLA-2001)

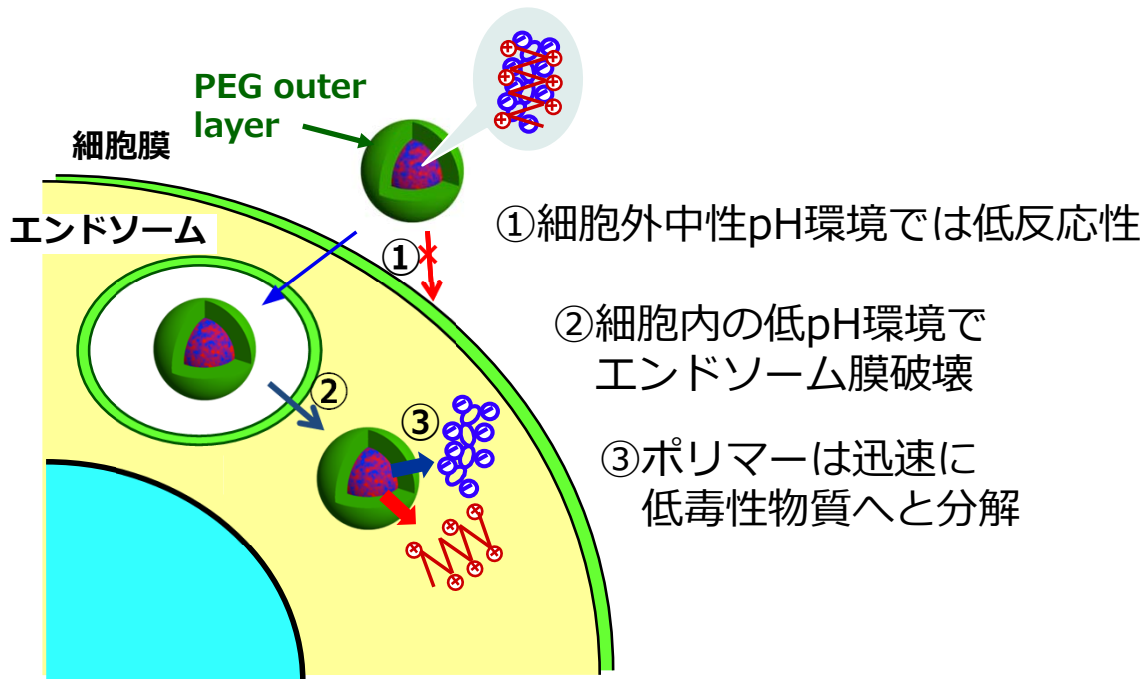
ポリプレックスミセル：mRNA医薬開発における優位性



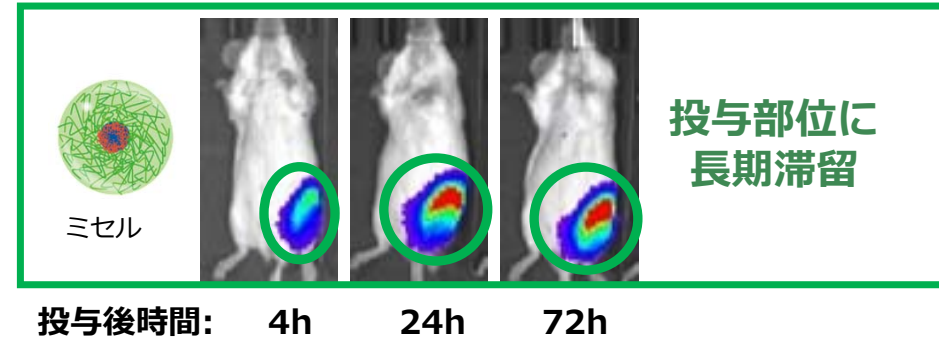
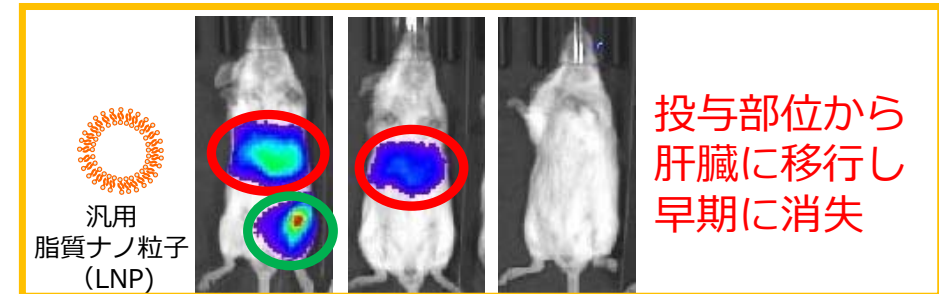
■ 細胞内の低pHに反応しmRNA放出



細胞内の低pH環境で側鎖末端構造が変性し
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

変形性関節症 Osteo arthritis (OA)

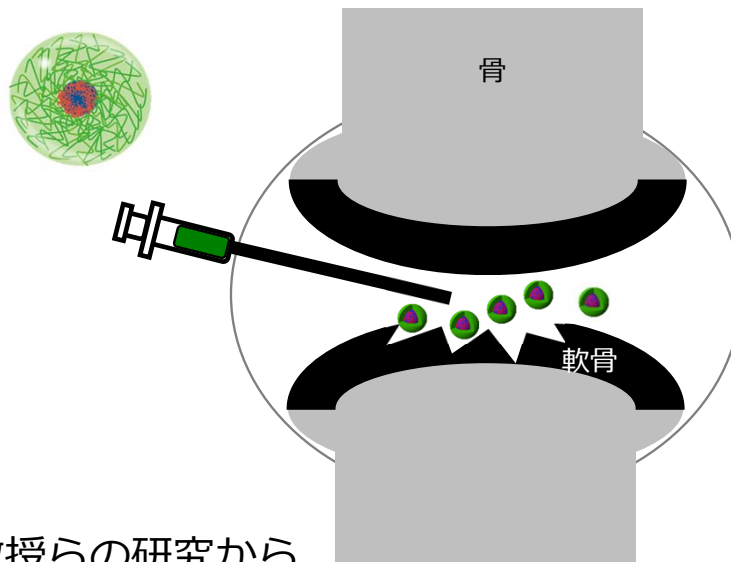
有病率：全人口の約10%、国内推計患者数1000万人以上

手術を要する重症例：年間8万例以上、寝たきりの原因の10%

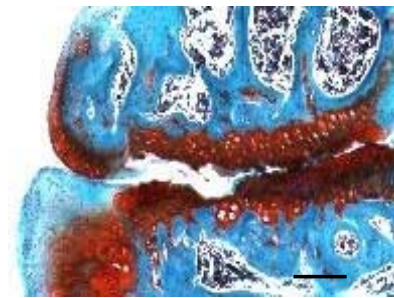
出典：厚生労働省「患者調査の概要」

軟骨誘導性転写因子「RUNX1」のmRNAをポリプレックスミセルに包埋し膝関節内に直接投与後の膝関節の病理組織像

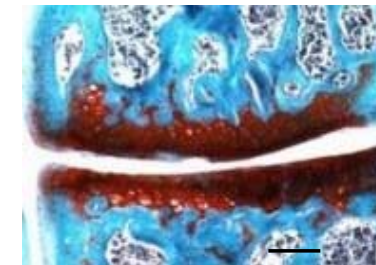
サフラニン-O 染色



Control



RUNX1

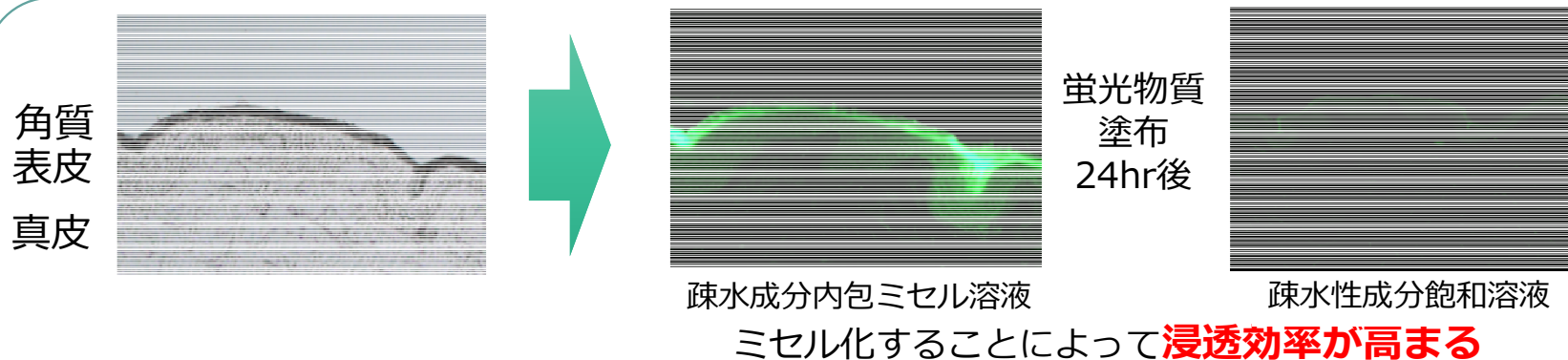


医科歯科大・位高教授らの研究から
Aini et al., Sci Rep 6:18743,2016

販売：化粧品への応用



ミセルの皮膚に対する影響



化粧品配合実績例

2018年 International Investigative Dermatology

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

アルビオン製品を含め、約30製品に配合

医薬部外品承認原料

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

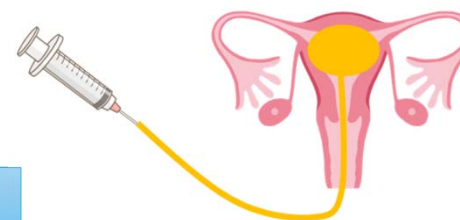
- ✓ PRP 投与によって、子宮内膜は1.27mm増加した。胚移植を実施できたのは32 例、妊娠が5 例（15.6%）に認められた。
- ✓ 有害事象は認められなかった。

2019.8 第37 回受精着床学会総会にて成績発表（山王病院）

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）



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
03-3241-0553