

2021 年 11 月 16 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 11 月 15 日（月）15：30-16：00        |
| 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<br>日本証券アナリスト協会会議室 |
| 説明会資料名 | 2022 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



東証マザーズ 4571

# 2022年3月期第2四半期 決算説明会

## ナノキャリア株式会社

2021年11月15日（月）

主催：公益社団法人日本証券アナリスト協会



## 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

# 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<br>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 東京都中央区京橋           |                                             |
| 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)      |

# 直近プレスリリース



2021.11.10 [リリース](#)

**NC-6004 キイトルーダ併用第IIb相試験 症例登録が目標の90%まで進捗** [📄](#) (205KB)

2021.10.20 [リリース](#)

**VB-111第3相臨床試験が進捗 50%の国内症例登録が完了、全12施設で症例登録開始** [📄](#) (201KB)

2021.10.12 [リリース](#)

**NC-6004 キイトルーダ併用第IIb相試験 症例登録が目標の80%まで進捗** [📄](#) (198KB)

2021.09.21 [リリース](#)

**VB-111：国際共同第III相臨床試験の患者登録継続推奨 独立データ安全性モニタリング委員会** [📄](#) (221KB)

2021.09.09 [リリース](#)

**VB-111第3相臨床試験の進捗状況について 10例目の症例登録が完了** [📄](#) (202KB)

2021.09.08 [リリース](#)

**mRNA医薬の応用拡大に向けたキッズウェル・バイオ株式会社との共同研究契約締結に関するお知らせ** [📄](#)

2021.09.01 [リリース](#)

**ENT103 国内第III相臨床試験で主要評価項目を達成** [📄](#) (189KB)

2021.08.31 [リリース](#)

**遺伝子治療製品「VB-111」：米国新規患者登録を再開 国内患者登録は順調に進捗中** [📄](#) (237KB)

2021.08.20 [リリース](#)

**NC-6004 Phase IIbが順調に進捗中** [📄](#) (445KB)

2021.06.21 [リリース](#)

**NC-6300：FDAよりファスト・トラック指定を受けました** [📄](#) (191KB)

2021.06.04 [リリース](#)

**遺伝子治療製品「VB-111」：承認申請が1年早まる可能性をASCOで発表 国際共同第III相臨床試験** [📄](#) (215KB)

www.nanocarrier.co.jp



| What's New                                                                |                      |
|---------------------------------------------------------------------------|----------------------|
| 2021.09.09                                                                | <a href="#">リリース</a> |
| VB-111第3相臨床試験の進捗状況について 10例目の症例登録が完了 <a href="#">📄</a> (202KB)             |                      |
| 2021.09.08                                                                | <a href="#">リリース</a> |
| mRNA医薬の応用拡大に向けたキッズウェル・バイオ株式会社との共同研究契約締結に関するお知らせ <a href="#">📄</a> (217KB) |                      |
| 2021.09.01                                                                | <a href="#">リリース</a> |
| 遺伝子治療製品「VB-111」：米国新規患者登録を再開 国内患者登録は順調に進捗中 <a href="#">📄</a> (237KB)       |                      |
| 2021.08.31                                                                | <a href="#">リリース</a> |
| ENT103 国内第III相臨床試験で主要評価項目を達成 <a href="#">📄</a> (189KB)                    |                      |

[最新ニュース一覧へ](#)

## 特集記事



[特集記事一覧へ](#)

## 優先バイブラインの進捗

[NC-6004](#)

[VB-111](#)

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：変形性膝関節症（膝軟骨再生）
- ・ TUG1 ASO：膠芽腫（脳腫瘍）

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な治療法の取り込み
- ・ 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（核酸）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

これまでの実績例

### アキュルナ社を吸収合併

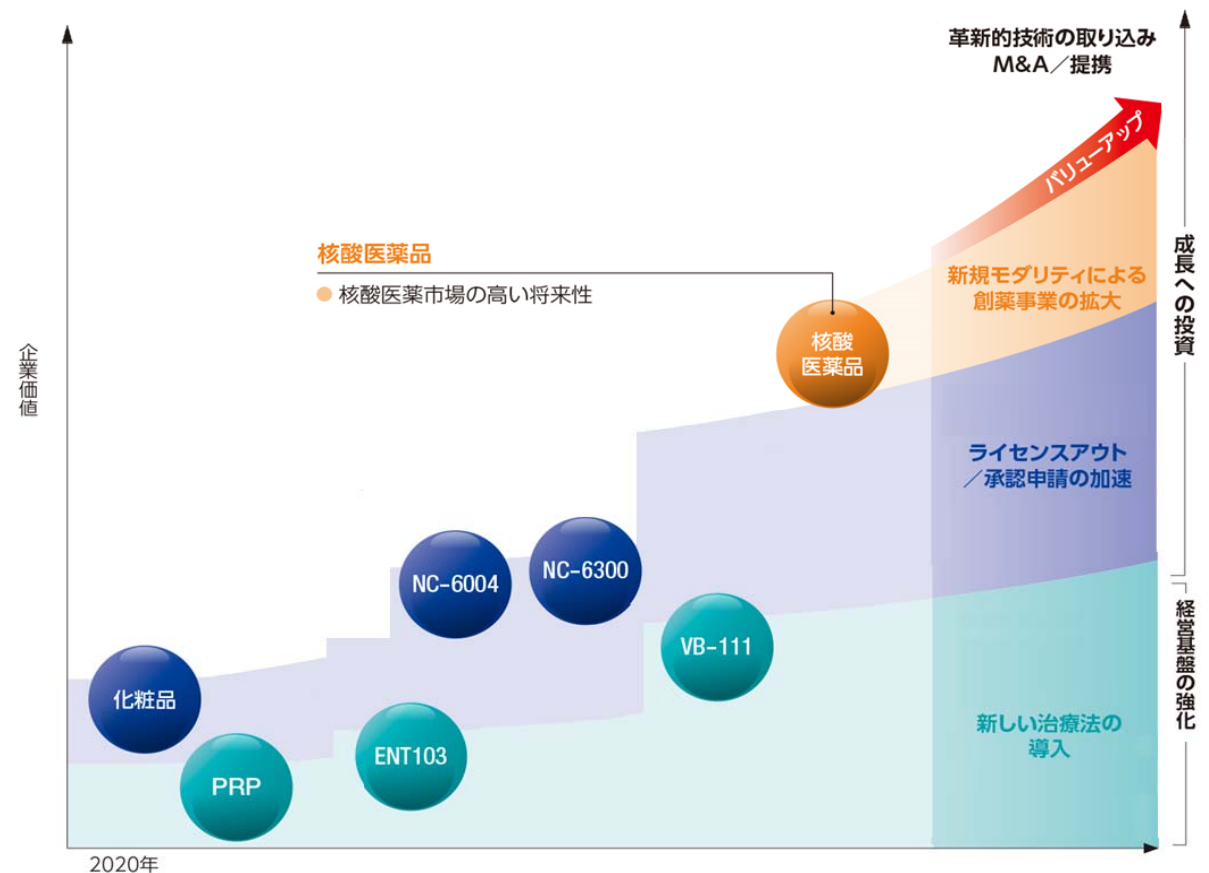
#### ＜核酸医薬＞

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



# 2022年3月期第2四半期 損益計算書



| (単位：百万円)        | 2021年3月期<br>第2四半期<br>実績（累計） | 2022年3月期<br>第2四半期<br>実績（累計） | 増減    |
|-----------------|-----------------------------|-----------------------------|-------|
| 売上高             | 193                         | 134                         | △58   |
| 売上原価、販管費及び一般管理費 | 703                         | 1,166                       | 462   |
| 内：研究開発費         | 内：462                       | 内：940                       | 478   |
| 営業（損失）利益        | (510)                       | (1,032)                     | △521  |
| 営業外収益/（費用）ネット   | (16)                        | 8                           | 25    |
| 経常（損失）利益        | (527)                       | (1,023)                     | △496  |
| 当期（純損失）純利益      | (2,082)                     | (975)                       | 1,106 |

# 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<br>(A) | 2021年9月30日<br>(B) | 増（減）<br>(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             |

# 2022年3月期 通期業績予想



| (単位：百万円)        | 2021年3月期<br>実績 | 2022年3月期<br>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 |

# 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                                                |
|-------------------------------------------------------|---------|-----|-----|-----|-----|--------------|------------------------------------------------------|
| <b>VB-111</b>                                         | 卵巣がん    |     |     |     |     | 日米欧<br>イスラエル | 共同開発(導入)<br>VBL therapeutics                         |
| ※パクリタキセルとの併用治療 (遺伝子治療製品)                              |         |     |     |     |     |              |                                                      |
| <b>ENT103</b>                                         | 中耳炎     |     |     |     |     | 日本           | 共同開発<br>CEOLIA                                       |
| ※新規点耳抗菌薬                                              |         |     |     |     |     |              |                                                      |
| <b>NC-6004</b><br>シスプラチンミセル                           | 頭頸部がん   |     |     |     |     | 欧州<br>台湾     | 共同開発 (導出)<br>友華股份有限公司<br>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                        |         |     |     |     |     |              |                                                      |
| <b>NC-6300</b><br>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 |         |     |     |     |     |              |                                                      |
| <b>NC-6100</b><br>PRDM14 (siRNA)                      | 乳がん     |     |     |     |     | 日本           | 医師主導治験<br>がん研有明病院                                    |
| <b>TUG1 (ASO)</b>                                     | 膠芽腫     |     |     |     |     | 日本           | 共同研究<br>名古屋大学                                        |
| ※AMED採択 2020年4 月～                                     |         |     |     |     |     |              |                                                      |
| <b>RUNX1 (mRNA)</b>                                   | 変形性膝関節症 |     |     |     |     | 日本           | PrimRNA<br>AXCELEAD                                  |
| ※AMED採択 2021年4月～                                      |         |     |     |     |     |              |                                                      |

## Phase III : VB-111



2017年11月 国内開発・販売権をVBL社より取得 → 第Ⅲ相試験から参画することで開発期間/コストを圧縮

### 開発のPOINT

治療法のない疾患（アンメットニーズ）に新たな医薬品を提供  
世界の最先端技術を国内に展開

### プラチナ製剤抵抗性再発卵巣がん

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。患者の約2-3割で、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再発卵巣がん

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. 9.17 320例以上登録済み  
(80%以上)

国内：2021. 6.10 患者登録開始  
2021.10.20 15例登録済み/30例中

### 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  
抗がん剤開発に比べて短期間で収益化が可能

## セオリアファーマと共同開発

### ✓ 新規耳科用 点耳抗菌薬

#### 中耳炎

WHOによると、世界で4200万人の聴覚障害（3年以上）の主な原因は中耳炎です。国内患者調査（2017年10月指定日）では、中耳炎患者は22万人。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



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年春ごろに  
セオリアファーマにより  
製造販売承認申請

## 開発のPOINT

がん治療の中心となった免疫チェックポイント阻害剤（ICI）との併用療法。  
ICI併用の臨床試験が世界で2000以上実施されており、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相においてプラチナ製剤抵抗性の再発/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。  
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、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、シスプラチンがkey drugとなっている。

## 第IIb相臨床試験概要

|         |                      |     |  |
|---------|----------------------|-----|--|
| 対象疾患：   | プラチナ製剤抵抗性再発/転移・頭頸部がん |     |  |
| 開発地域：   | 欧州、台湾                |     |  |
| 被験者数：   | 124例                 |     |  |
|         | ペンブロリズマブ+NC-6004群    | 62例 |  |
|         | ペンブロリズマブ単独群          | 62例 |  |
| 投与開始：   | 2020年11月             |     |  |
| 主要評価項目： | 無増悪生存期間（PFS）         |     |  |

## 進捗状況

**2021.11.10 111例登録済み/124例中  
(約90%)**

2022年3月までに  
患者登録完了見込み

※ペンブロリズマブ：商品名「キイトルーダ®」の一般名

# NC-6004: 第Ⅱa相臨床試験成績概要



対象疾患：プラチナ製剤抵抗性再発/転移・頭頸部がん

16例が登録され、90 mg/m<sup>2</sup>～135 mg/m<sup>2</sup>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/m<sup>2</sup>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/m<sup>2</sup>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ム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

2021.2.18-21 第18回日本臨床腫瘍学会学術集会

※ペンブロリズマブ：商品名「キイトルーダ」の一般名

# Phase I/II : NC-6300 PIb Expansion Cohort



## 開発のPOINT

治療法のない領域に新たな医薬品を提供

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

## 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1.2万人と推定される希少がん。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す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/m<sup>2</sup>)

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

# Phase I : NC-6100 <siRNA医薬>



## 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

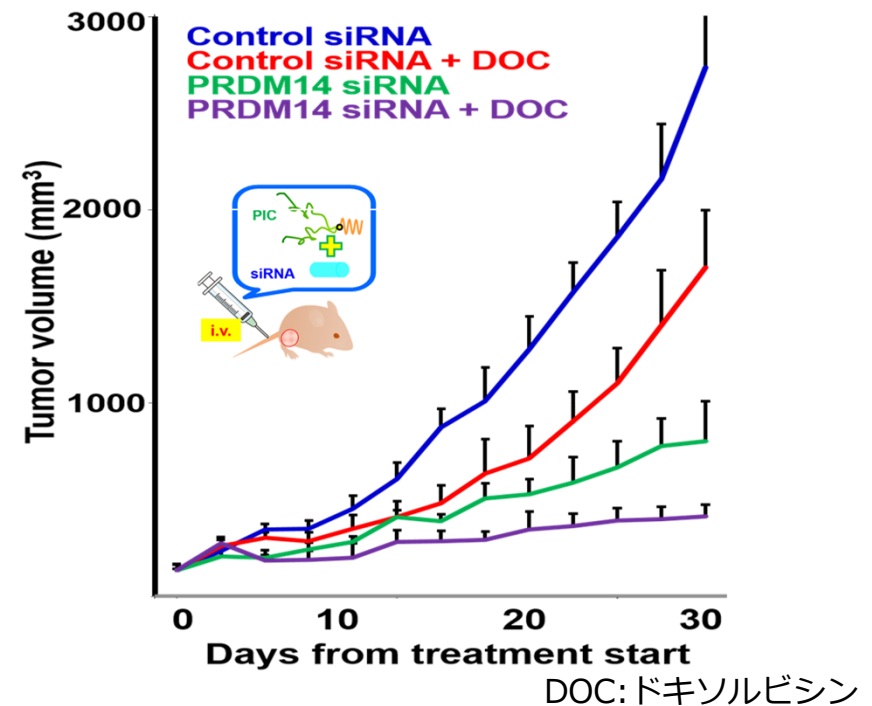
女性が患う最も多いがん腫。11人に一人の女性が罹患すると言われるが、早期発見により比較的完治する。

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。

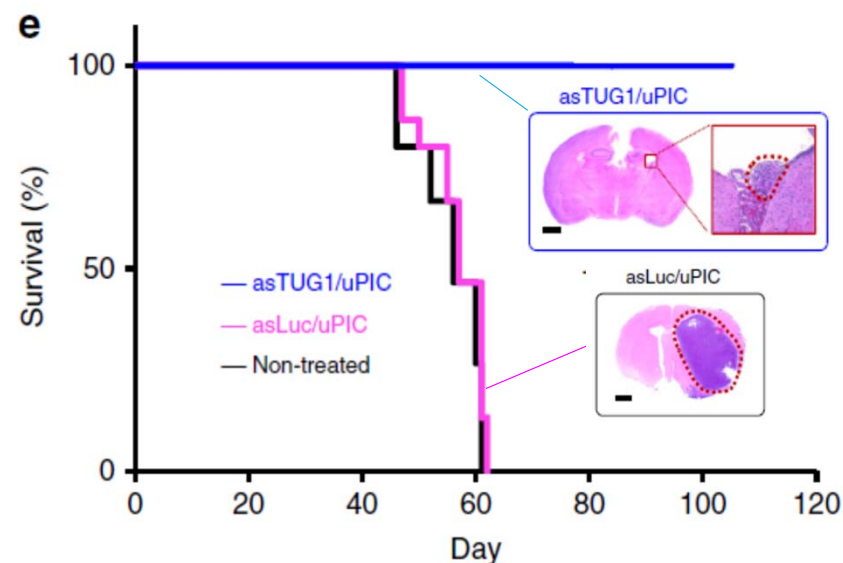
## 膠芽腫に対するアンチセンス核酸治療薬の実用化に向けた非臨床研究を推進

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」

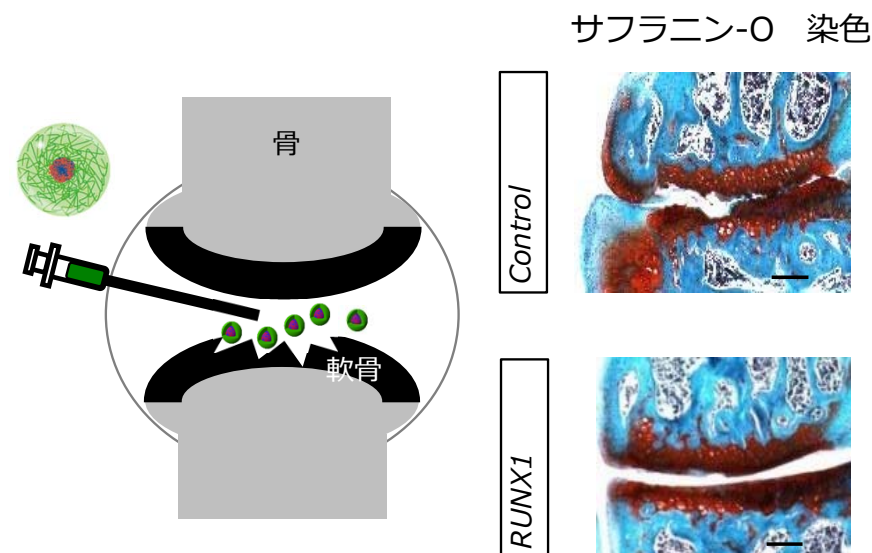
## mRNA医薬のGMP製造を確立/第 I 相臨床試験を実施し至適用量決定を目指した開発を推進

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)

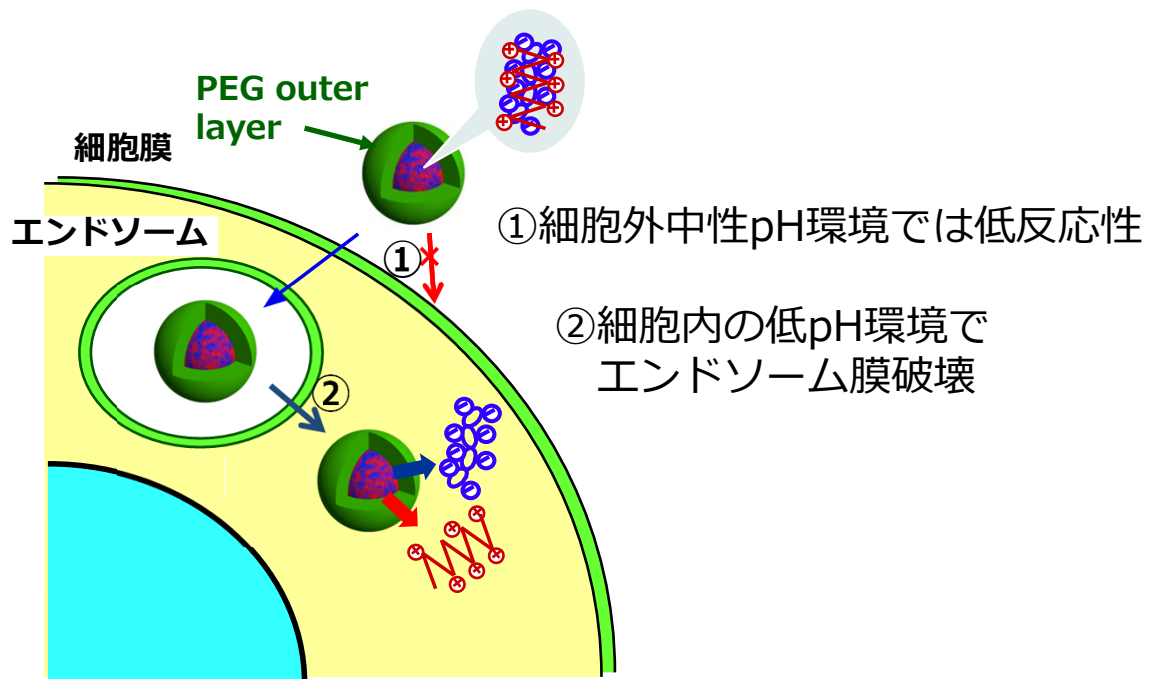


医科歯科大・位高教授らの研究から  
Aini et al., Sci Rep 6:18743,2016

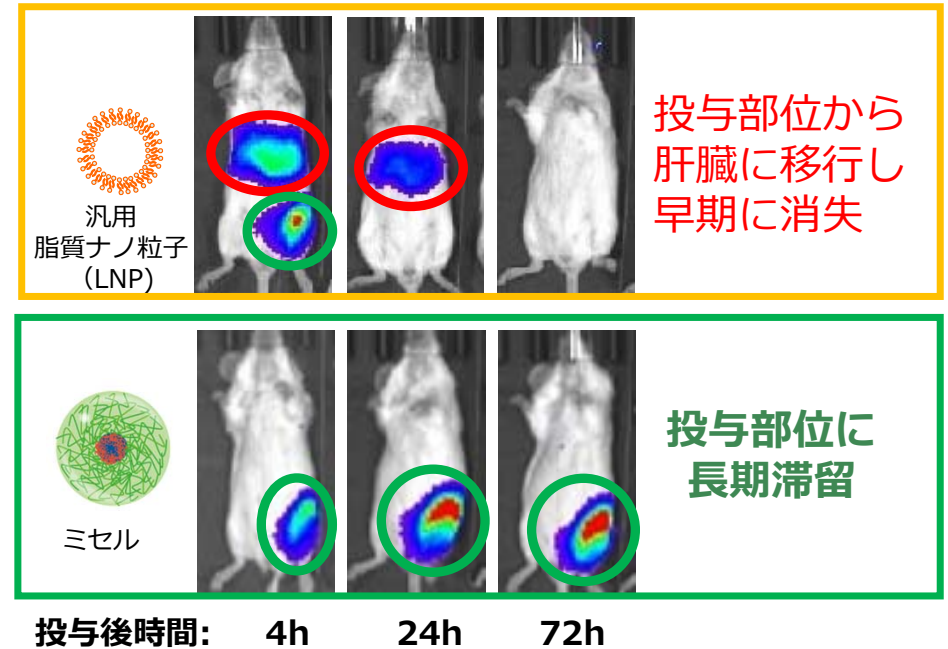
# mRNA医薬開発におけるミセルの優位性

## ■ 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)  |

## 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）

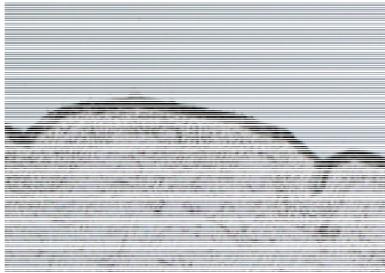
# 化粧品への応用：ミセルの皮膚浸透性に着目



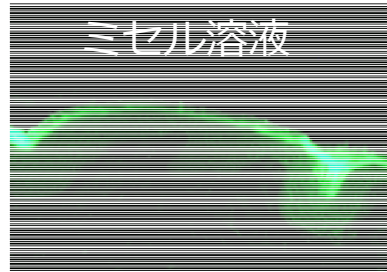
ミセルの皮膚に対する浸透性

2018年 International Investigative Dermatology

角質  
表皮  
真皮

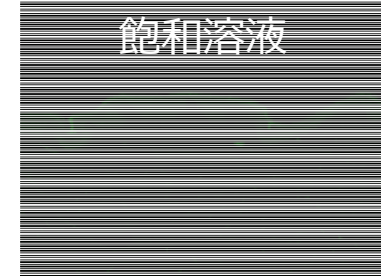


ミセル溶液



疎水性  
蛍光物質  
塗布  
24hr後

飽和溶液



ミセル化することによって**浸透効率が高まる**

**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



ホワイティング  
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

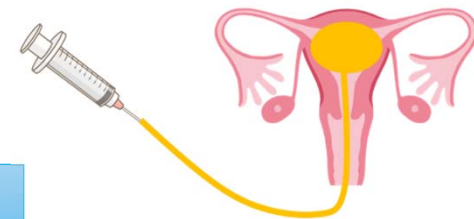
- ✓ PRP 投与によって、子宮内膜は1.27mm増加した。胚移植を実施できたのは32 例、妊娠が5 例（15.6%）に認められた。
- ✓ 有害事象は認められなかった。

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）



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



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