



 **NanoCarrier**<sup>®</sup>  
薬の未来を創造する

2013年11月12日(火) 13:30～  
主催: 日本証券アナリスト協会

# 会社概要

所在地	本社/研究所	〒277-0882 千葉県柏市柏の葉五丁目4番地19
	東京オフィス	〒103-0027 東京都中央区日本橋三丁目2番2号 八重洲ヤマガタビル
設立	1996年6月14日	
上場市場、及び年月日	東京証券取引所マザーズ 上場 2008年3月5日	
資本金	9,983百万円 (2013年10月31日現在)	
発行済株式総数	397,952株 (2013年10月31日現在)	
役職員	従業員41名、取締役8名、監査役3名、合計52名 (2013年10月31日現在)	
取締役	代表取締役社長CEO	中富 一郎
	CBO兼事業開発部長	花田 博幸 (元生化学工業 研究開発担当執行役員)
	CSO	加藤 泰己 (元協和発酵 製剤研究所所長)
	CFO兼社長室長	中塚 琢磨 (元日本シェーリング 常務取締役)
	非常勤取締役	岡野 光夫 (東京女子医大教授)
		大橋 彰 (医師 クリニック院長)
		松村 淳 (ウイズ・パートナーズ 代表取締役副社長)
		飯野 智 (ウイズ・パートナーズ SMD 兼 投資運用部長)
監査役	常勤監査役	野口 勘四郎 (元化合物安全性研究所 常務取締役総務部長)
	非常勤監査役	森嶋 正 (森嶋公認会計士事務所 代表 公認会計士)
		古田 利雄 (クレア法律事務所 代表社員弁護士)
アドバイザー	藤澤 朋行 (ウイズ・パートナーズ MD、元武田薬品工業 研究アライアンス室長)	
サイエンティフィック アドバイザー	片岡 一則 (東京大学大学院教授)	
	長崎 幸夫 (筑波大学大学院教授)	
	西山 伸宏 (東京工業大学大学院教授)	

# 株式情報

## 大株主

※2013年9月末現在

株主	保有数	保有率 (%)
ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業有限責任組合	39,137	10.74
信越化学工業株式会社	24,000	6.59
日本トラスティ・サービス信託銀行株式会社	21,247	5.83
日本マスタートラスト信託銀行株式会社	11,557	3.17
中富 一郎	11,250	3.09
興和株式会社	11,000	3.02
CYNTEC CO., LTD. (OEP社の子会社)	6,232	1.71
資産管理サービス信託銀行株式会社	6,025	1.65
松井証券株式会社	5,611	1.54
岡野 光夫	2,882	0.79
上位10名合計	138,941	38.13
<b>発行済株式総数</b>	<b>364,352</b>	-

## 株主数:

18,000名 (3月末) ⇒ 23,442名 (9月末)

### 9月末以降の大株主の保有数及び発行済株式総数の変動

10月中

◆グローバルオフリング実施

33,600株 国内及び海外における新株発行

- ・国内:3,000株(うち、信越化学工業(株) 2,600株取得)
- ・海外:30,600株

8,400株 海外売出し

- ・ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業有限責任組合  
7,700株売却

- ・シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合 700株売却



10月末時点

◆大株主の株数変更

ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業有限責任組合

31,437株(7.90%)

信越化学工業(株)

26,600株(6.68%)

◆発行済株式総数の増加

364,352株(9月末) ⇒ 397,952株(10月末)

平成26年3月期 第2四半期  
決算概要



# 損益計算書

第2四半期累計実績は売上高及び売上総利益が前年度を大きく上回ったが、研究開発の進捗に伴い費用が増加したために営業損失等が増加。なお、当初予想からは改善した。

単位:百万円	平成25年3月期 第2四半期 (累計)	平成26年3月期 第2四半期 (累計)
	実績	実績
売上高	99	325
売上原価	88	102
売上総利益	10	223
販売管理費	277	724
(うち研究開発費)	(95)	(489)
営業利益	△266	△501
経常利益	△266	△436
四半期純利益	△268	△437

# 貸借対照表

資産合計は、主に新株予約権の行使による現金及び預金の増加に伴い170百万円増加。負債は、主に転換社債型新株予約権付社債の転換により539百万円減少。

単位:百万円	平成25年3月期末	平成26年3月期第2四半期末		
	金額	金額	構成比 (%)	増減額
流動資産	5,473	5,625	97.4	152
固定資産	132	150	2.6	17
資産合計	5,606	5,776	100.0	170
流動負債	149	125	2.2	△23
固定負債	1,055	540	9.3	△515
負債合計	1,205	665	11.5	△539
純資産合計	4,400	5,110	88.5	709
負債純資産合計	5,606	5,776	100.0	170

# キャッシュ・フロー計算書

研究開発費の増加に伴いキャッシュアウトが増加したものの、主に定期預金の満期到来による収入及び新株予約権の行使による収入により、現金及び現金同等物は前期末に比べ9.86億円増加（なお、現金及び預金の残高は52億超）

単位:百万円		平成25年3月期 第2四半期（累計）	平成26年3月期 第2四半期（累計）	増減額
営業活動によるキャッシュ・フロー		△367	△475	△108
投資活動によるキャッシュ・フロー		△27	782	810
フリー・キャッシュ・フロー		△394	306	701
財務活動によるキャッシュ・フロー		33	625	592
現金及び現金同等物の増減額		△361	986	1,348
現金及び現金同等物の四半期末残高		1,419	4,440	3,020

# 今期見通し

単位:百万円	平成25年3月期 (第17期) 実績	平成26年3月期 (第18期) 予想※	
		3/19公表	9/10修正
売上高	373	297	416
営業利益	△526	△1,238	△1,174
経常利益	△432	△1,240	△1,176
当期純利益	△484	△1,262	△1,198

※グローバルオフリングに伴う株式交付費等は含んでおらず、これを含め見通しの数値は様々な要因により変更される可能性がある。



トピックス  
2013年度上期(含む10月)



# 主要なIR情報

公表日	概要
2013. 5. 7	NC-6300/K-912 国内Phase I 試験 IND申請
2013. 5. 13	米レギュラス社とマイクロRNA治療薬に関するFS(フィージビリティースタディー)開始
2013. 5. 20	核酸送達用ポリマーの試薬販売に関する日油株式会社との非独占ライセンス契約締結
2013. 5. 30	NC-4016 米国Phase I 試験 IND申請
2013. 6. 19	核酸デリバリー用ミセル プロトタイプ確立 NanoFect™
2013. 6. 20	信越化学工業株式会社との共同研究契約締結
2013. 6. 24	NC-6004 米国 Phase Ib/II 試験 IND申請
2013. 8. 12	京都大学との共同研究契約延長
2013. 9. 17	台湾OEP社の製造子会社OP Nano社への出資決定
2013. 9. 24	NC-6004 台湾OEP社との中国のライセンス領域許諾に関する覚書締結
2013. 9. 30	株式会社アルビオンと新たな共同研究契約締結
2013. 10. 7	国内及び海外における新株式発行及び海外における株式売出しの決定 (グローバルオフリング)
2013. 10.18	新生「エクラフチュール」美容液 発売 (販売 アルビオン)

# 1. 共同研究契約締結

2013年5月13日

## 米レギュラスとマイクロRNA治療薬に関するフィージビリティースタディ開始

レギュラス : マイクロRNA分子を当社に提供  
ナノキャリア: マイクロRNA分子の製剤化



両者で協力し前臨床試験実施する予定

効率的な全身投与システムの開発に、  
ミセル化ナノ粒子技術が貢献するものと期待

### Regulus Therapeutics, Inc.

マイクロRNAを標的とする革新的な医薬品の探索と開発をリードするバイオ医薬品企業。学術関係者の幅広いネットワークと連携し、Anylam PharmaceuticalsやIsis Pharmaceuticalsが培ってきたオリゴヌクレオチド創薬開発の専門知識を有効活用し、レギュラスは、がん、線維症、C型肝炎や代謝性疾患など、いくつかの分野でマイクロRNA治療薬の臨床開発を進める予定で、この分野でアストラゼネカ、グラクソスミスクライン、サノフィなどとの戦略的提携を進めています。

## 2. 共同研究契約締結

信越化学工業株式会社との資本提携及び  
ミセル化ナノ粒子の材料であるコポリマーに関する共同研究契約締結(2013年6月20日)



- ▶ 信越化学工業は2012年11月の第三者割当増資及び  
その後の既存株式購入により6.68%(2013年10月末現在)保有の株主となる
- ▶ 良質なコポリマーの量産技術の確立及び競争的コストの実現に  
よるミセル化ナノ粒子技術の活用範囲の拡大を目指す

### 3.出資および開発覚書締結

2013年9月17日

#### 台湾OEP社の製造子会社OP Nano社への出資決定

- OEP社が製造子会社として設立したOP Nano社(台湾)に対する出資契約を締結し、OP Nano社に出資することを決定  
⇒10月初旬にNT\$ (台湾ドル)29.5百万の出資を実行

【OP Nano社の事業内容】

ミセル化ナノ粒子製剤製造の他、新薬・バイオシミラーなどの(受託)製造

<製造工場>

投資総額	: NT\$1,000百万	(工場建設に関連する設備等を含む)
工場完成時期	: 2016年12月予定	
延床面積	: 8,900m <sup>2</sup>	
場所	: Huwei, Yunlin, 台湾	

2013年9月24日

#### ライセンス許諾領域を中国にも拡大する覚書締結

- 膵臓がんを対象に、台湾、香港、シンガポールで実施を計画しているNC-6004のPhaseIII臨床試験の対象に中国本土を追加することを合意。
- 併せて、中国をライセンス領域として追加許諾することに伴い、ライセンス契約の改定を念頭に経済条件(一時金、マイルストーン、ロイヤリティー)の交渉を行い、2年以内に正式な契約を締結することを合意。

## 4.共同開発契約締結

株式会社アルビオンとの共同開発製品発売



「エクラフチュール」

2013年10月18日発売開始

ALBION

化粧品メーカー「アルビオン」との共同開発品

新処方  
アルビオン厳選の植物成分

「強き生命力のブドウ」  
リュウキュウガネブ  
＜エビヅル葉エキス＞



「神様からの贈り物」  
クパスバター  
＜テオブロマグランジフロルム種子脂＞



ミセル化により、皮膚浸透性と滞留性を改善

- ◆ 想定数量を大幅に上回り、昨年発売した同価格の美容液と比較すると3倍以上の出荷
- ◆ 各店ともアルビオンの美容液発売月の過去最高記録を更新
- ◆ @コスメ 美容液部門 第2位 (2013年11月8日現在)

2013年9月30日

株式会社アルビオンと新たな共同開発契約締結

育毛剤、乳液などの新たな化粧品分野で共同開発および事業化について契約

## 5. グローバルオフリングによる資金調達

### 【目的】

- NC-6004及びNC-4016の自社開発を加速化するとともに、核酸医薬品やセンサー結合型ミセル（ADCM）などを活用した次世代医薬品候補の研究開発を進めるための長期かつ安定的な資金の確保
- 株主構成の多様化（海外機関投資家を含む新たな投資家層の開拓・拡大）
- 海外での技術及び製品パイプラインの認知度を高め、グローバルな臨床開発及び事業開発に役立てる

### 2013年10月7日新株式発行の決定（国内一般募集及び海外募集）

(1) 募集株式の種類及び数	下記①及び②の合計による当社普通株式33,600株 ①国内一般募集における国内引受会社の買取引受けの対象株式として 当社普通株式3,000株 ②海外募集における海外引受会社の買取引受けの対象株式として 当社普通株式30,600株	
(2) 払込金額	1株につき	257,460円
(3) 払込金額の総額		8,650,656,000円
(4) 資本組入額	1株につき	128,730円
(5) 資本組入額の総額		4,325,328,000円
(6) 払込期日		平成25年10月28日(月)

●上記の他、オーバーアロットメントによる国内及び海外売出しに関連して行われる第三者割当増資により合計6,300株（払込金額最大1,621,998,000円）を上限として普通株式が発行される可能性がある。

新規開発パイプライン  
進捗状況

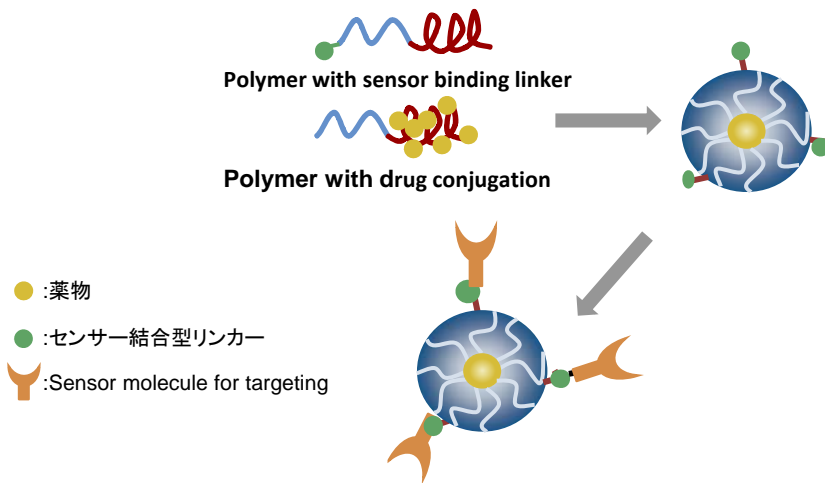




# 1. 次世代医薬品候補の研究開発 Antibody/Drug-Conjugated Micelle (ADCM)

性能と生産性を両立した次世代ADC

日・欧・加・中・豪で特許成立



製剤学的特徴

**薬物の安定性を保持**

ポリマーを2種類利用することにより、効率よく調製が可能

**1粒子内の薬物量が多い**

1ミセル粒子内に数百個の薬物を内包可能

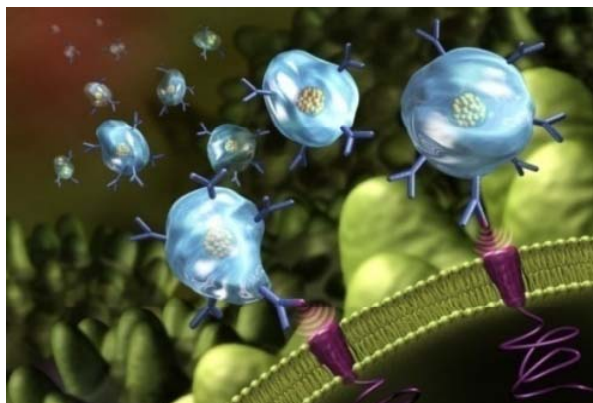
**センサー量は少量で有効**

1粒子のセンサー量は数個で十分なターゲティングが可能

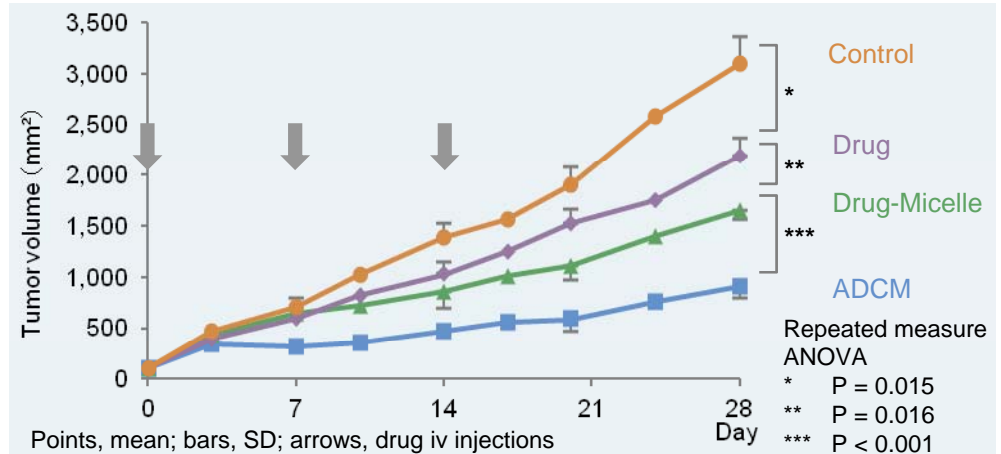
**無限の組合せが可能**

センサーは抗体のみならず、タンパクやペプチドが結合でき、薬剤は低分子化合物からタンパク、核酸のような高分子化合物までデリバリーできる

ADCMイメージ図



ADCMの胃がんにおける抗腫瘍効果 (in vivo study)



## 2. 次世代医薬品候補の研究開発 核酸ミセル プロトタイプ完成

### siRNAなど

#### 長所

- 究極の分子標的薬
- 副作用がなく高活性

#### 短所

- 生体内で非常に不安定
- 水溶性高分子のため、薬効を示す細胞内に入らない

1. siRNAを医薬品とするには送達技術が必須である
2. 細胞内まで入れることができる技術は数多くあるが、細胞質内にsiRNAを効率良く放出できる技術は未だない

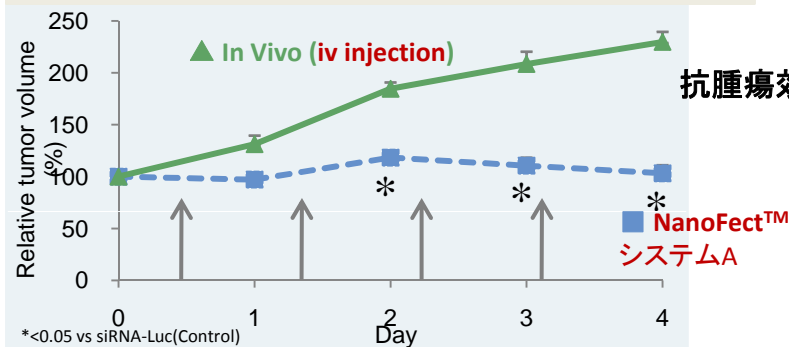
NanoFect™

(特許権確保済)

1. 生体内での安定性を向上し、血中を長時間循環する
2. 標的細胞内に入り、細胞質内で放出するため効果を発現するプロトタイプ”NanoFect™”を完成

- システムA: 細胞内に取り込まれやすく、細胞質内に効率よく移行する(自社技術)
- システムB: 細胞内ATPを利用してsiRNAを放出する(東京大学技術)
- システムC: 血中滞留性に優れた(東京大学技術)

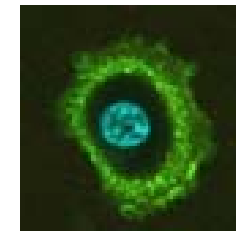
### システムAによるsiRNA Delivery



抗腫瘍効果を発現!

Active機能を付与

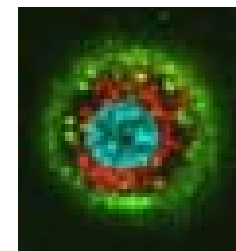
### Active型システムAによる siRNAの細胞質内デリバリー



Active型 システムA  
-siRNAを細胞に添加  
抗体(緑)が細胞表面  
に結合した

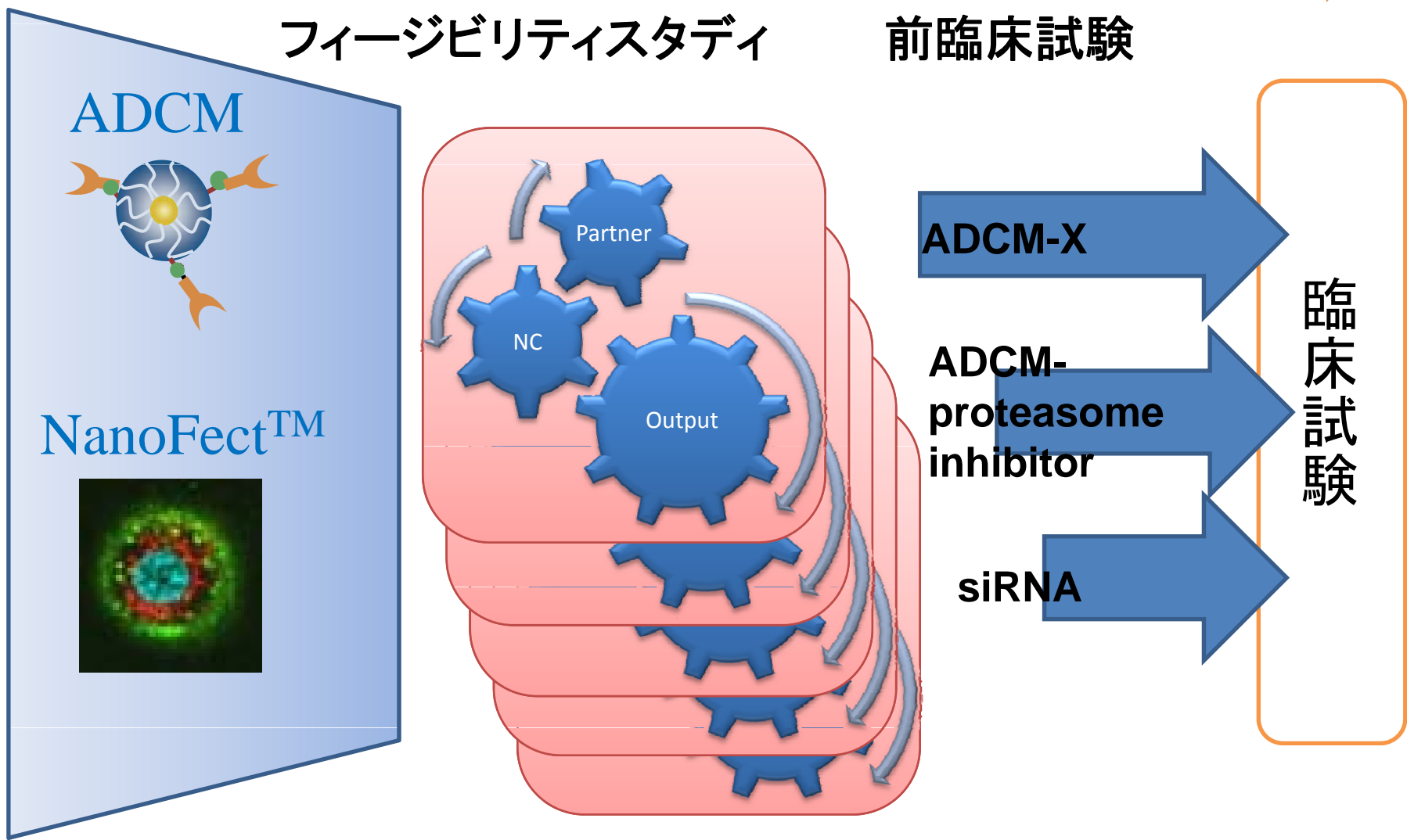


30分後、ミセルが  
エンドサイトーシス  
された(黄色)



75分後、siRNA(赤色)  
がエンドソーム脱出し  
細胞質内に移行

### 3. 新規開発パイプライン計画 フィジビリティスタディーからライセンス契約へ

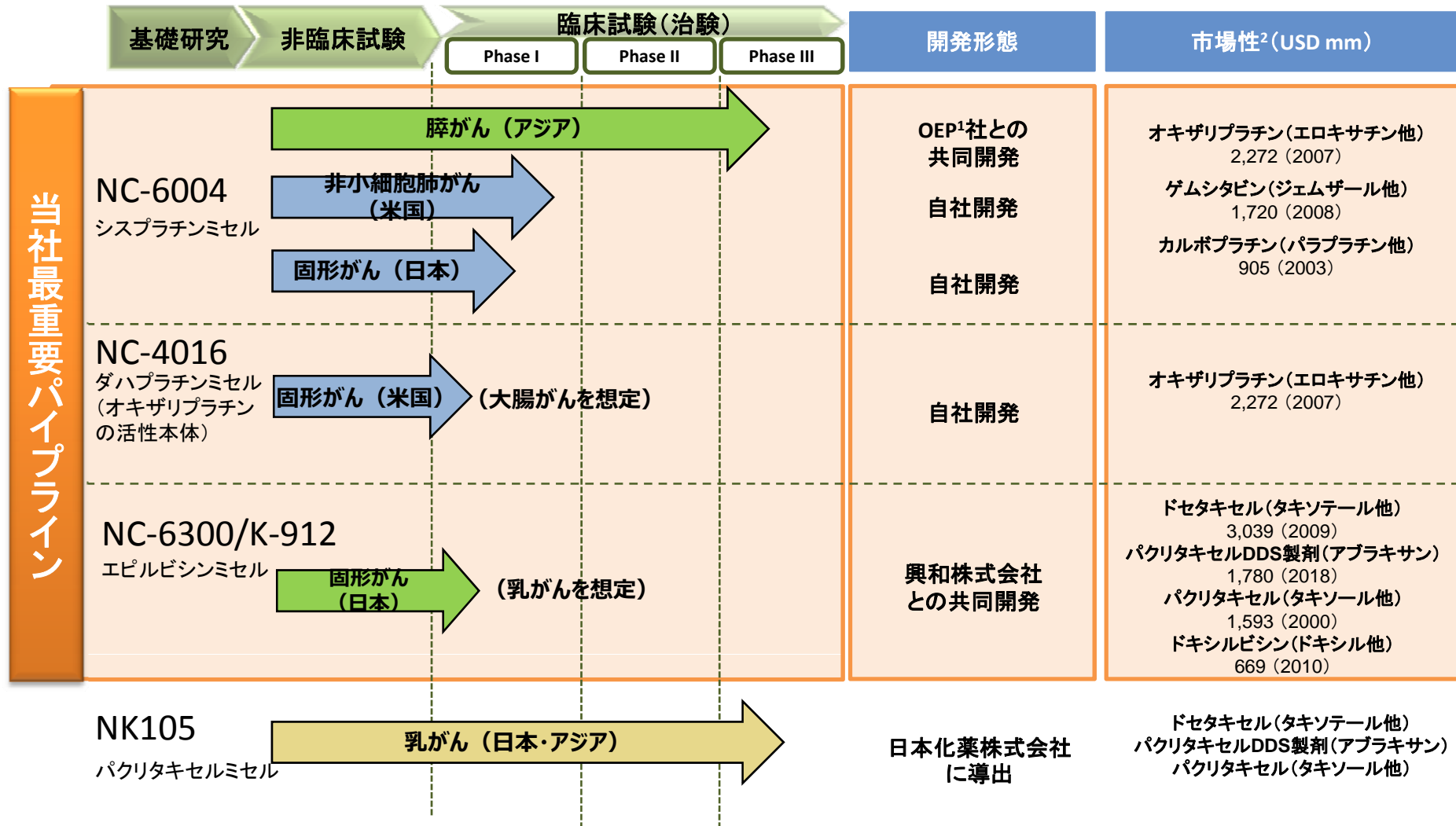


主要パイプライン  
進捗状況



# 主要パイプライン進捗と開発状況

凡例: 自社開発 共同開発 開発権導出により他社が開発



注: <sup>1</sup>OEP: Orient Europharma Co., Ltd.

<sup>2</sup>類似剤のピーク時年間世界売上高 (EvaluatePharma推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す)

# NC-6004 (ナノプラチン®)の進捗

## 1. 開発コンセプト

- シスプラチンはがん治療のベースである化学療法の中心的薬剤として、多くのがん腫(例: 卵巣がん、頭頸部がん、非小細胞肺癌、胃がんなど)の標準治療レジメンに採用されている
- シスプラチンは毒性(腎臓毒性、消化器毒性、神経毒性)が強く、毒性の発現のために治療が継続できないことががん治療上の問題となっている
- 投与に長時間を要するため、入院治療となる
- Bristol-Myers Squibbはシスプラチンの副作用を軽減したカルボプラチンを開発したが、有効性も減弱したため、シスプラチンを凌駕できていない  
(カルボプラチンのピーク時売上高USD905m/2003年<sup>1)</sup>)



- ミセル化ナノ粒子化することで、EPR効果によりがん組織でのシスプラチンの高い集積を期待
- 既存のシスプラチンでは静脈内投与後の血中濃度の急激な上昇が副作用発生の要因となっているが、PEG-pGluとシスプラチンの化学結合により、血中内で薬物を放出するスピードをコントロールし、血中濃度を有効域で持続安定させるため、副作用を抑制することが期待できる
- 既存のシスプラチンより長時間血中濃度が維持できることから、より高い抗腫瘍作用を持つことが期待される
- 副作用を軽減することで、短時間での投与が可能となるため、外来治療が可能。医療費削減にも貢献

注<sup>1</sup>EvaluatePharma推定値

# NC-6004 (ナノプラチン®)の進捗

## 2.アジアPhase I/II 臨床試験の終了と結果

がん化学療法のベース治療薬であるシスプラチンをナノメディスン化することで、治療中のQOL向上と有効性の向上を図る

アジアPhase I/II試験(局所進行性または転移性膵がん;ゲムシタビンとの併用)の結果を、2013年10月に日本がん学会/日本癌治療学会で報告

### 安全性

➤ 臨床的に特徴のある意義が認められた

- シスプラチンに特有の腎障害、消化管毒性、神経障害、聴覚障害などは、発生頻度・程度ともに低い
  - 文献値や複数のがん専門医の意見と比較し、臨床的に十分に意味のある差別化ができると考えられた
- 大量の電解質補液の投与(Hydration)なしで、シスプラチン製剤で知られている腎障害は効果的に軽減できる

### 有効性

- 既存治療(アブラキサン+ゲムシタビン)の文献値と比較してほぼ同等であった。
- Phase I/II試験 OS<sup>1</sup>中央値:8.2カ月、PFS<sup>2</sup>中央値:3.8カ月

- 有効性に関する考察および改善策:当該試験ではシスプラチンを用いる標準治療で行われる一般的な大量の電解質補液の投与(Hydration)処置を行わずに実施したため、NC-6004投与時に軽い腎障害が検知された。その結果、NC-6004の投与量を半減する措置が7件の症例で実施されたことが影響している可能性が考えられる。Phase III臨床試験においては、少量のHydrationを追加することで、有効性データの向上を図る

### 利便性

- 副作用予防のための投薬処置削減の可能性示唆
- 投与時間短縮による外来治療の可能性示唆

- 患者さんのQOL向上、費用負担軽減
- 医療費削減

Summary of all treatment-emergent serious adverse events (Phase II)  
(Safety Population)

	NC-6004 90 mg/m <sup>2</sup> (N=24) n(%) <sup>c</sup>
Total number of SAEs	41
Number of patients experiencing at least one treatment-emergent SAE	15 ( 62.5%)
Disseminated intravascular coagulation	1 ( 4.2%)/1
Neutropenia	1 ( 4.2%)/1
Thrombocytopenia	2 ( 8.3%)/2
Cardiac failure congestive	1 ( 4.2%)/2
Myocardial ischaemia	1 ( 4.2%)/1
Abdominal pain	1 ( 4.2%)/1
Melaena	1 ( 4.2%)/1
Vomiting	1 ( 4.2%)/1
Malaise	1 ( 4.2%)/1
Pyrexia	6 (25.0%)/6
Bile duct obstruction	2 ( 8.3%)/2
Hepatic failure	1 ( 4.2%)/1
Hepatic function abnormal	1 ( 4.2%)/1
Hyperbilirubinaemia	1 ( 4.2%)/3
Liver abscess	1 ( 4.2%)/1
Pneumonia	1 ( 4.2%)/1
Gamma-glutamyltransferase increased	1 ( 4.2%)/1
Hepatic enzyme increased	1 ( 4.2%)/1
White blood cell count decreased	1 ( 4.2%)/1
White blood cell count increased	2 ( 8.3%)/2
Decreased appetite	1 ( 4.2%)/2
Hypercalcaemia	1 ( 4.2%)/1
Hyperglycaemia	2 ( 8.3%)/2
Hypokalaemia	1 ( 4.2%)/1
Back pain	1 ( 4.2%)/1
Dyspnoea	1 ( 4.2%)/1
Hypotension	1 ( 4.2%)/1
Hypovolaemic shock	1 ( 4.2%)/1

n=number of patients experiencing treatment-emergent SAE,  
c=number of SAEs reported (events). Each patient is counted only once per preferred term and per system organ class.

注: <sup>1</sup> OS: Overall Survival; <sup>2</sup> PFS: Progression-Free Survival

# NC-6004 (ナノプラチン®) の進捗

## 3. アジアPIII、米国PIb/II、日本PI各臨床試験の実施

がん化学療法のベース治療薬であるシスプラチンをナノメディスン化することで、治療中のQOL向上と有効性の向上を図る

### 今後の展望

#### 安全性上のメリット

NC-6004の既存のシスプラチン製剤に対する安全性上のメリットは、臨床試験結果からも十分に期待できると考えられる

#### 適応がん腫の拡大

シスプラチン製剤は多くのがん腫の治療において標準治療のレジメンに含まれている。NC-6004の適応は膵がんだけではなく、他のがん腫の治療にも応用できると考えられる。したがって、シスプラチンが重要な治療レジメンになっているがん腫を選定し、開発を進める

#### 確実な有効性を期待できる投与量の確保

新規抗がん剤開発においては、確実な有効性を臨床試験で示すことが必要であることから、NC-6004投与量の減量の要因となっている腎障害に対し、今後の臨床試験では予防措置としてNC-6004投与前後の少量のHydrationを追加し、有効性成績の向上を図る

アジアPhase III を台湾／シンガポール／香港において近く開始予定。中国本土へも拡大

- 局所進行性または転移性膵がん患者に対するNC-6004+ゲムシタビン併用療法とゲムシタビン単独両方との比較検証試験予定症例数：300例
- 共同開発先のOEP社が主導

日米欧での開発権保持(自社開発推進)

- 米国では非小細胞肺がんの適用でPhase Ib/IIを2013年晩秋開始予定
- 日本でも固形がんPhase I 実施中 (日本人の薬物動態を検討中)



# NC-6004 (ナノプラチン®)の進捗

## 4.他の治療法(標準療法)との比較

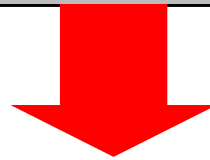
適応	レジメン	発現する主要な毒性					その他
		腎毒性	消化管 毒性	神経 毒性	骨髄 抑制		
開発中	NC-6004 + ゲムシタビン	✓					➢短時間・少量のHydrationが必要
非小細胞肺癌	シスプラチン + ゲムシタビン	✓	✓	✓	✓		➢長時間・大量のHydrationが必要
非小細胞肺癌、 膵がん	アブラキサン + ゲムシタビン			✓	✓		➢溶解・調整の複雑な手間
膵がん	FOLFIRINOX <sup>1</sup>		✓	✓	✓		➢46時間の点滴静注による拘束 ➢体力がある患者に限定

注: ✓マークの記載がない箇所についても、毒性の発現が全くないわけではない  
<sup>1</sup> FOLFIRINOXは、4剤 (Oxaliplatin, Leucovorin, Irinotecan, 5-FU) の混合治療

## NC-4016 の進捗

### 1.開発コンセプト

- オキザリプラチンは、抗がん剤5-FU/LVとの併用で大腸がんの標準的薬剤として世界的に成功を収めている
- オキザリプラチンはデビオファーム社によって開発され、サノフィ・アベンティス社及びヤクルト本社によって市販されており、ピーク時年間世界売上高USD2,272mm(2007年)<sup>1</sup>を達成している
- 末梢神経障害「手足のしびれ」が治療中止・中断の主要な要因となっている



- ダハプラチンはオキザリプラチンの活性本体であり、高活性である反面、毒性が強い。ミセル化することで、安全性を保ち、さらなる高活性が期待できる
- PEG-pGluと活性本体のダハプラチンを化学結合させることで、血中内で崩壊するスピードは、高度な合成ポリマー技術によりコントロールされる結果、ダハプラチンが血中内に長期間滞留し、持続的な抗腫瘍作用が期待する一方で、既存のオキザリプラチンの高い血中濃度がもたらす副作用が軽減されることが期待される
- EPR効果により腫瘍部分をターゲットすることで、がん組織でのダハプラチンの高い集積が期待される
- ナノキャリアが全世界での権利を保持している

注<sup>1</sup>EvaluatePharma推定値

## NC-4016 の進捗 2.米国臨床試験の実施

2013年5月29日現地時間 米国 Phase I IND申請

### 【Phase I 臨床試験の概要】

対象疾患：進行性や転移性の固形がん

実施施設：テキサス大学 MDアンダーソンがんセンター (Phase I Unit)

試験内容：安全性および忍容性の検討、Phase II 臨床試験における推奨用量決定

試験期間：投与開始より約1年半

テキサス州立大学 MDアンダーソンがんセンター Phase I Unit  
(The University of Texas MD Anderson Cancer Center)

■癌の治療、研究、教育、予防を専門とする世界最大規模がんセンター



## NC-6300/K912の進捗

### 1.開発コンセプト

- 急性白血病、悪性リンパ腫、乳がん、卵巣がん、胃がん、肝臓がん、膀胱がん等に用いられ、併用、単独など投与方法もさまざま、広い適用を持っており、その中でも特に乳がんの治療において重要な役割を担っている
- アントラサイクリン系のエピルビシンは、心毒性が強く、投与中止もしくは投与制限の要因となる
- アントラサイクリン系のドキソルビシンをリポソーム化したドキシル®は手足症候群、間質性肺疾患、肺塞栓症などの副作用がある(ピーク時年間世界売上高USD669mm(2010年)<sup>1)</sup>)



➤細胞内にNC-6300がエンドサイトーシスにより取り込まれた後に、エンドソームが核に近づくとともにエンドソーム内のpHが低下する。pH応答性機能を付加しているのがん細胞の核の近傍でエピルビシンを効率良く大量に放出することができる。このため薬効の増強とともに薬剤耐性がんへの効果が期待できる

➤ミセル化することでエピルビシンの心臓への集積が抑えられることからエピルビシンの心毒性を抑制できる



\* 心毒性の発現リスクを大幅に減らすことで治療期間の大幅な延長を達成し、長期間投与し続けて耐性を獲得したがんにも有効な画期的新薬を目指す

## NC-6300/K912の進捗 2. 日本国内臨床試験の実施

2012年9月 興和株式会社とグローバルライセンス契約を締結

2013年5月 国内 Phase I 試験 IND申請

2013年9月 患者さんへの投与開始

### 【Phase I 臨床試験の概要】

対象疾患：進行性や転移性の固形がん

実施施設：国内

試験内容：安全性および忍容性の検討、Phase II 臨床試験における推奨用量決定

試験期間：2013年9月～2015年3月（予定）

### 【学会発表】 ※興和株式会社と共同発表

2013年5月23-25日 日本薬剤学会第28回年次大会

「K-912(NC-6300)のヒト乳がん移植モデルマウスに対する治療効果」

2013年5月29-31日 第62回高分子学会年会

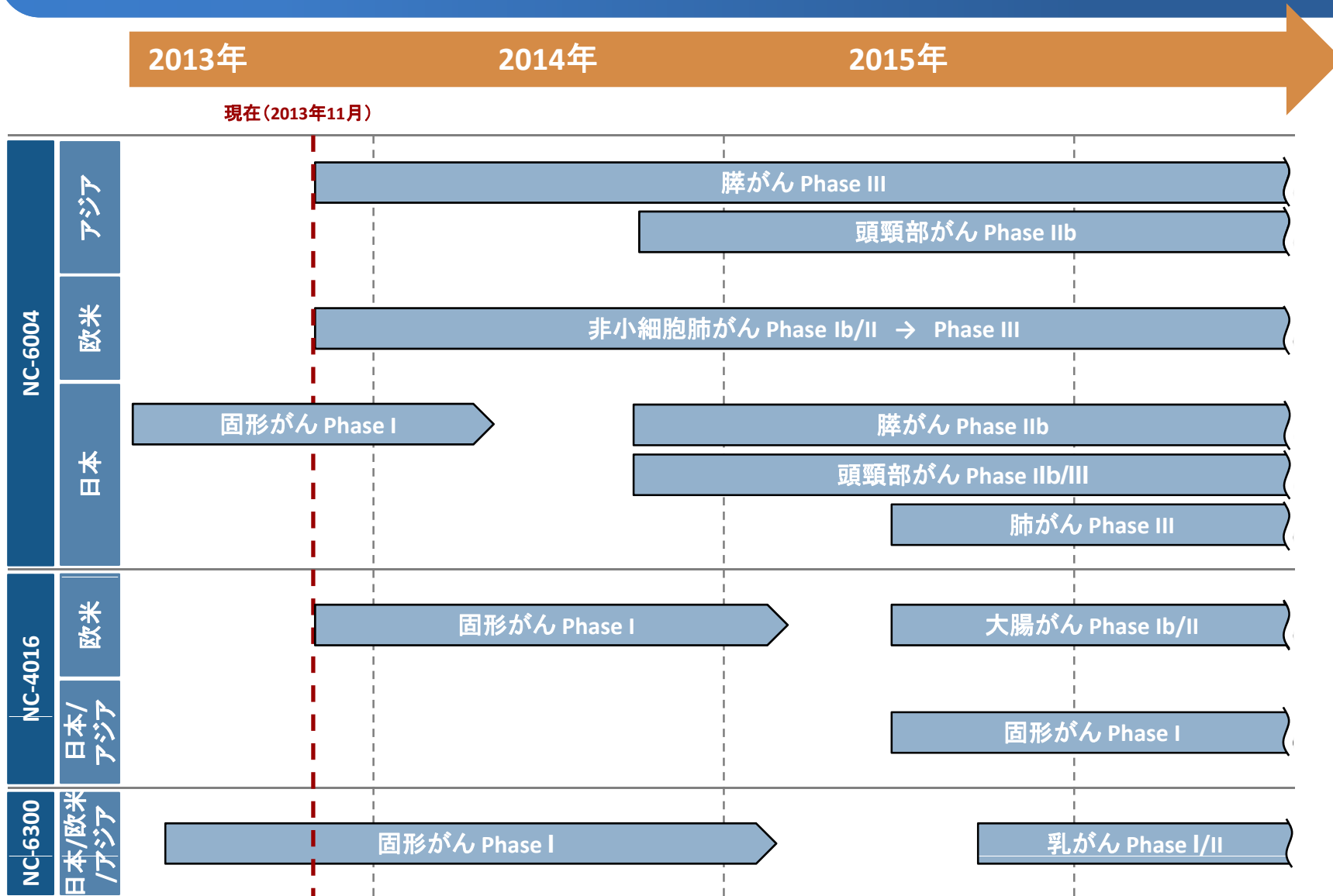
「pH応答性エピルビシンミセル内包高分子ミセルの特性評価並びに制がん活性に関する検討」

### 【論文発表】

NC-6300, an epirubicin-incorporating micelle, extends the antitumor effect and reduces the cardiotoxicity of epirubicin

Cancer Science 2013 July;104(7):920-5

# 主要パイプライン: 今後の臨床試験計画



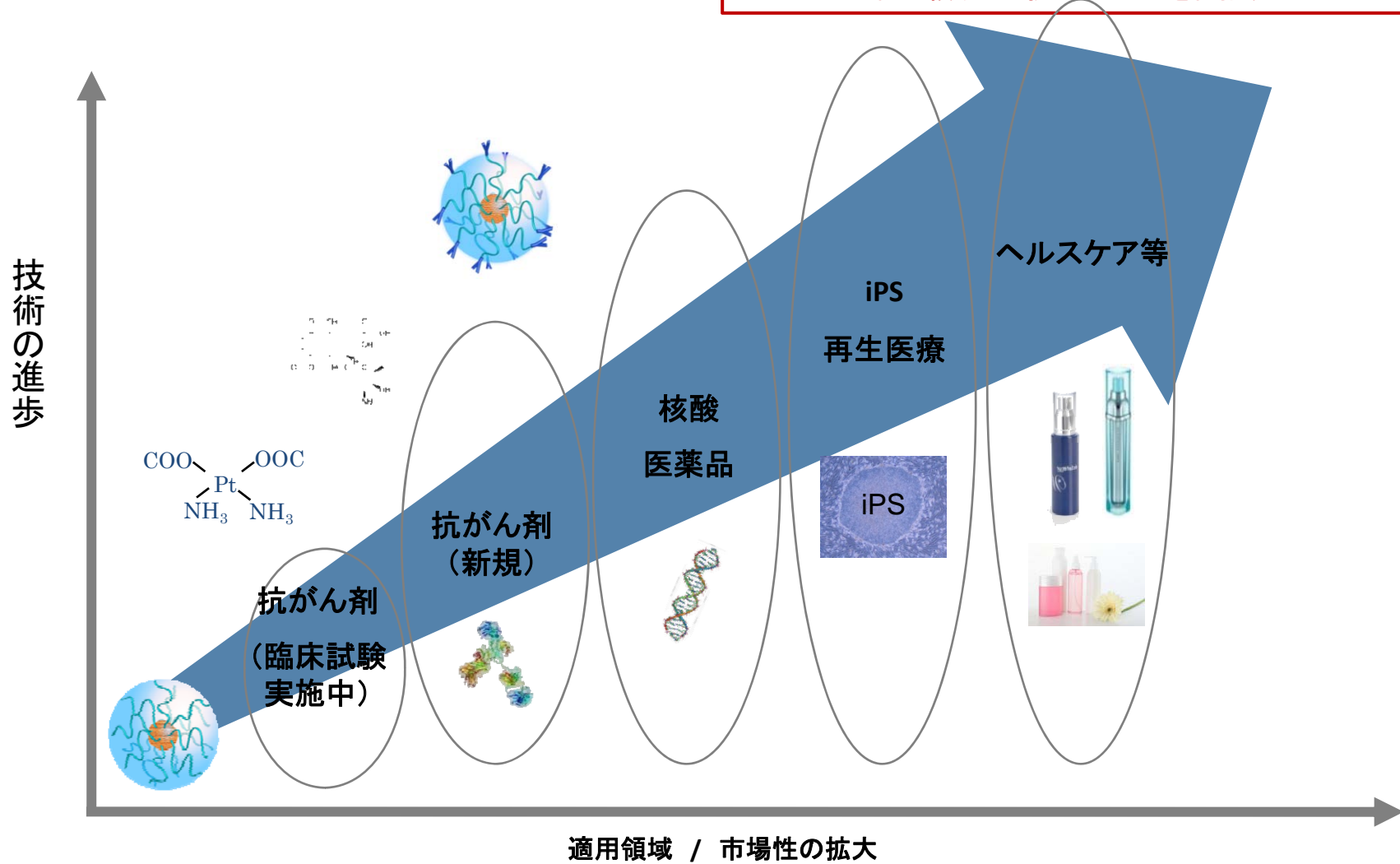
注: 本頁は現時点の計画であり、開始・終了時期、臨床試験期間等は変更となる可能性があります

将来の構想



# ミセル化ナノ粒子技術を用いた新展開

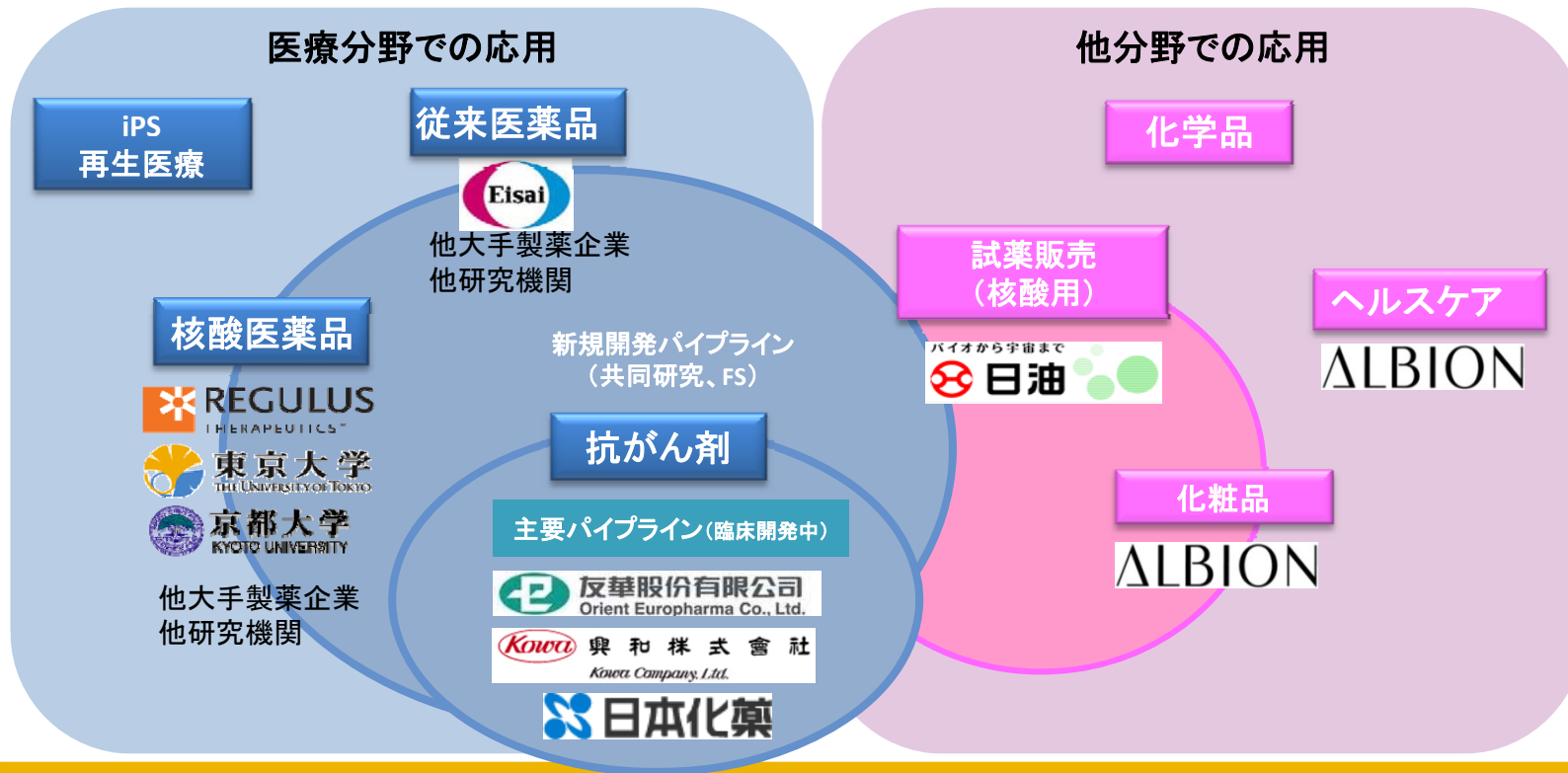
従来のミセル化ナノ粒子技術をADCMに進化させるとともに  
適用領域も抗がん剤を中心とした医薬品から  
他の領域へと拡大することを目指す





# 新領域におけるパートナーシップ

医療分野ではコア技術を元に医薬品候補品の改良・最適化によりパイプラインを拡充、他分野においては、原材料費のコストダウンにより、応用範囲の拡大を図る



# ありがとうございました



本資料で記述している業績予想は、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。

お問い合わせ先  
ナノキャリア株式会社 社長室 電話03-3548-0217