

株主様向け会社説明会

ナノキャリア株式会社

2013年6月25日(火) 第17回定時株主総会





上場後のナノキャリアの歩み



2008年 3月5日 東証マザーズ上場

2008年 NC-6004のライセンス契約（台湾OEP社）

2009年 NC-6004の台湾・シンガポールP I / II 試験開始（台湾OEP社と共同）

2010年 NK105の乳がんP I 試験開始（日本化薬株式会社主導）

エクラフチュール-W 発売

2011年 NC-6004の台湾・シンガポール 肺がん P II 試験パート開始（台湾OEP社と共同）

NC-6300のライセンス契約締結（興和株式会社）

2012年 エーザイ株式会社と共同研究契約締結

NK105の国内・アジア 乳がん P III 試験開始（日本化薬株式会社主導）

株式会社アルビオンと化粧品素材に関する契約締結

NC-6004の国内P I 試験開始（自社）

信越化学工業株式会社から出資受入れ

NC-6004の製造権に関するライセンス契約締結（台湾OEP社）

2013年 NC-6300の国内P I 試験 IND申請実施（興和株式会社主導）

microRNAに関する共同研究契約締結（米レギュラス社）

核酸医薬品用研究試薬販売に関するライセンス契約締結（日油株式会社）

NC-4016の米国P I 試験 IND申請実施（自社）

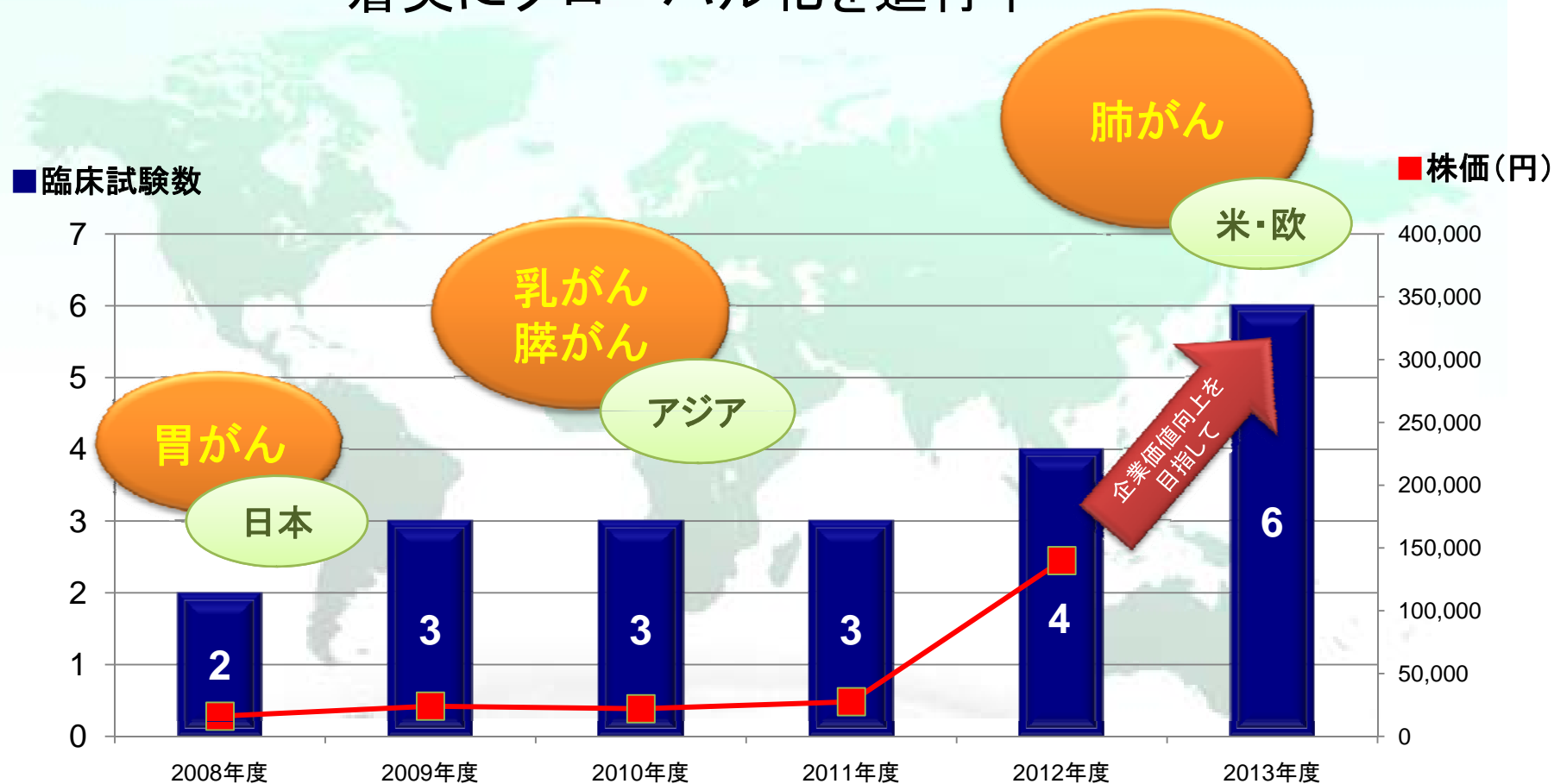
NC-6004のアジアP III 試験 治験計画届出書提出（台湾OEP社主導）



上場後の臨床試験活動と株価推移(年平均値)



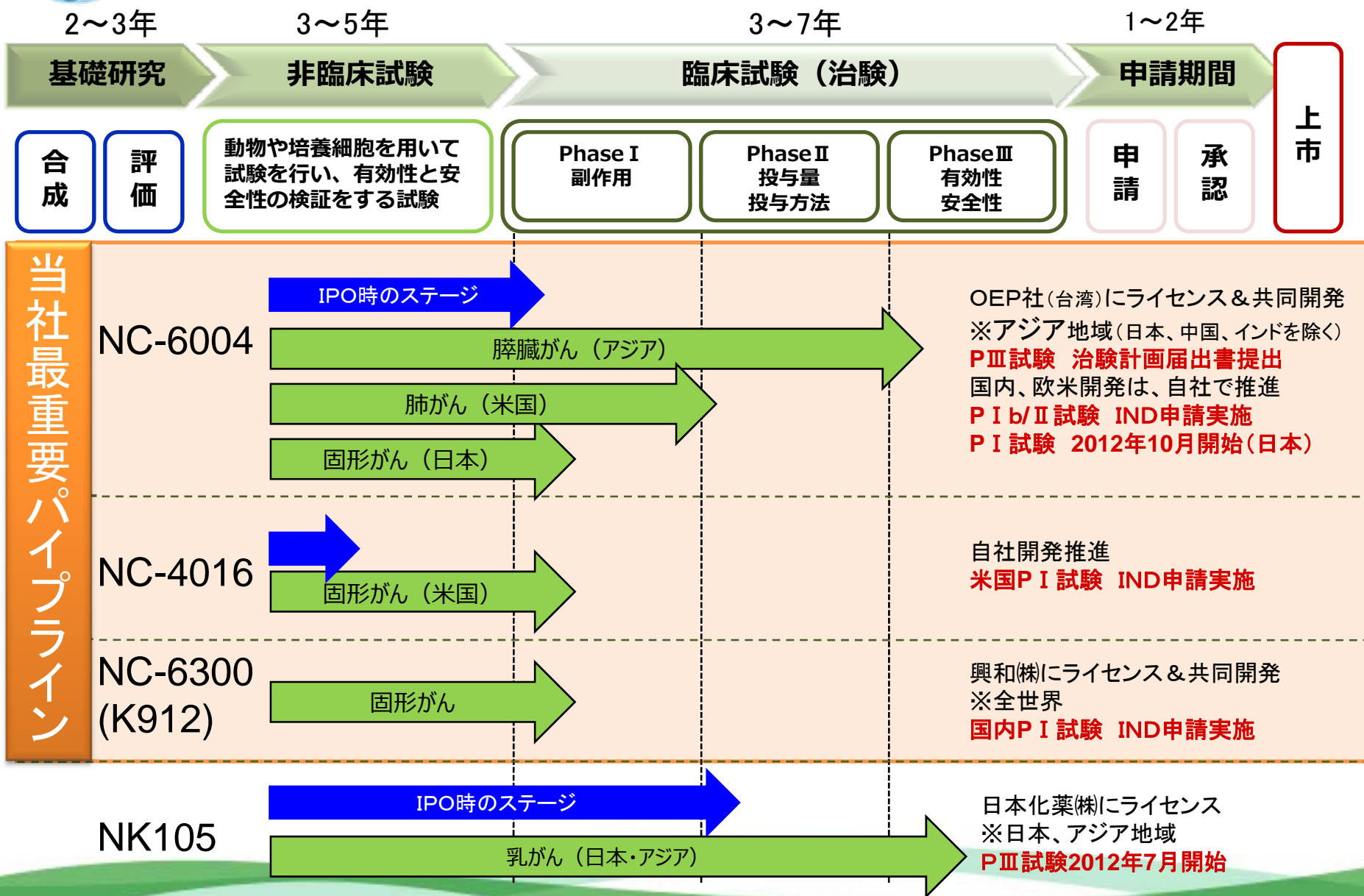
着実にグローバル化を進行中



2013年6月現在 研究開発プロジェクト 22品目 パートナー企業 17社



上場後の主要パイプライン(進捗状況)





上場後の新規開発パイプライン(進捗状況)



| 開発対象品目 | | 目的 | 進捗レベル 0(無)-5(完成) | メディカルニーズ 0(小)-5(大) | 提携先 |
|-------------------------------------|------------|------------------------|---------------------|-----------------------|-----|
| 核酸 (siRNAなど) | 進捗 | 薬剤を、安定して病巣部位へ運ぶデリバリー技術 | 5 | 5 | 有 |
| タンパク質 | 進捗 | 薬剤投与頻度削減(週数回投与を1回投与に) | 3 | 5 | 有 |
| ドセタキセル | NEW | 乳がん、胃がんなど広範囲の抗がん剤 | 5 | 3 | — |
| ボルテゾミブ (ベルケイド®) | NEW | 固形がんの適応拡大 (分子標的薬) | 3 | 4 | — |
| センサー結合型 (Active Delivery system) | 進捗 | 標的とする細胞への選択性を高める抗がん剤 | 4 | 5 | 有 |
| 新薬 | NEW | 既存上市薬の改良、開発薬の課題を解決 | 3 | 5 | 有 |



他分野

化粧品
ヘルスケア
試薬
化学品

など

原材料費のコストダウンにより、
応用範囲の拡大

低分子医薬品
抗がん剤

現在の
主要パイプライン
から拡充

医療分野

タンパク質
核酸
ワクチン療法
iPSなど再生医療

など

コア技術を基にした、改良・最適化
により、パイプラインを拡充



「エクラフチュール」

2013年10月発売

ALBION

化粧品メーカー「アルビオン」との共同開発品



今期の事業計画

取締役CFO 中塚琢磨



研究開発および事業提携を積極的に展開することによりR&D活動の強化を行うと共に、売上増加への貢献を図る

基盤技術力の向上



- ✓ 大学、研究機関との共同研究を展開
- ✓ 国内外のバイオベンチャーや製薬企業との共同研究・フィージビリティースタディ
(低分子ミセル・siRNA・タンパクミセルなど)

医薬事業の強化



- ✓ 既存パイプラインの開発に向けた提携活動の推進（一時金・マイルストーン収益、開発リスクのヘッジ）

化粧品事業による売上への貢献



- ✓ アルビオン社（10月新製品発売予定）
- ✓ 医薬部外品への事業展開
- ✓ 更なる提携先の開発

M & A 戦略



- ✓ パイプラインの強化
- ✓ アライアンスの強化
- ✓ 経営基盤の強化
- ✓ 研究開発の強化



売上計画値：現時点での契約に基づく収入のみ計上

※現在交渉中の事業活動（ライセンス等）による売上・収入については含めていない

研究開発費：最大の経費を考慮した予算値を計上

| 単位:百万円 | 平成23年度 (第16期) 実績 | 平成24年度 (第17期) 実績 | 平成25年度 (第18期) 計画※ |
|----------------------|------------------------|------------------------|-------------------------|
| 売上 | 346 | 373 | 297 |
| 開発原価 (原価 & 研究開発費) | 328 | 510 | 1,144 |
| 販管費(除く研究開発費) | 351 | 390 | 391 |
| 営業利益(損失) | △333 | △526 | △1,238 |

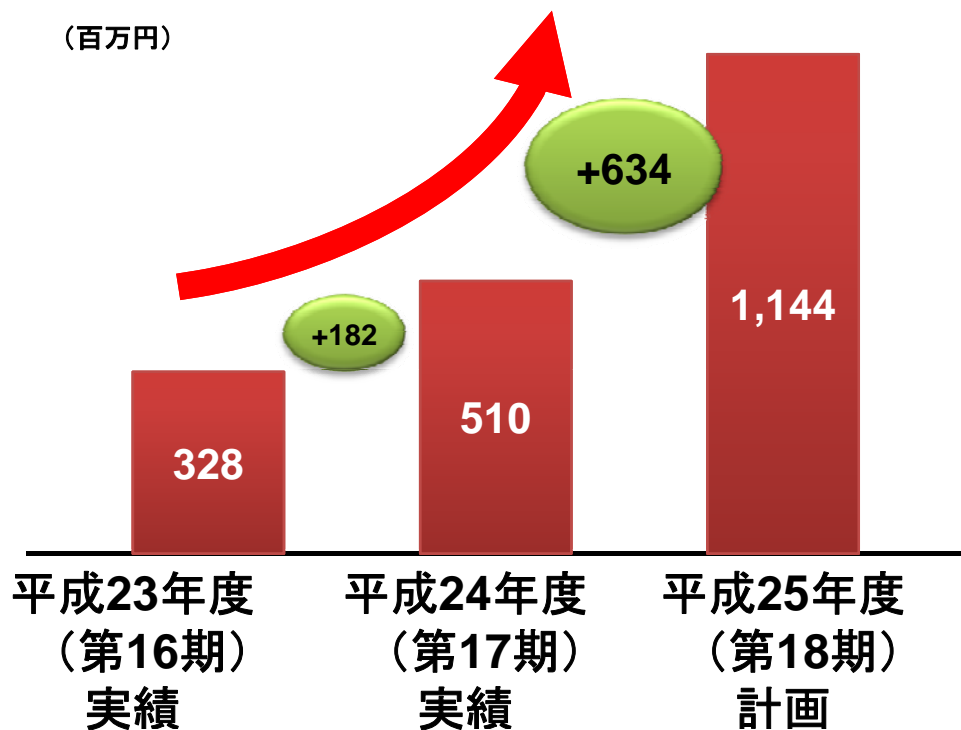
※計画は、様々な要因により数値は変更される可能性があります



最重要パイプライン（NC-6004, NC-4016, NC-6300）の開発を加速し、パイプラインの価値最大化を図る

研究開発費の推移

(百万円)



NC-6004 (ナノプラチン®)

アジア: 膵臓癌 PⅢ試験開始準備
米国: 肺癌 PIb/Ⅱ試験 IND申請
日本: 固形癌 PI試験の推進

NC-4016 (ダハプラチン誘導体ミセル)

米国: 固形癌 PI試験 IND申請

NC-6300 (エピルビシンミセル)

日本: 固形癌 PI試験の推進

※計画は、様々な要因により数値は変更される可能性があります



日本、アジア、欧米における NC-6004の成果と計画

取締役CBO 花田博幸



NC-6004 開発状況と今後の開発展開 その1 (6月25日時点)

1. 完了した臨床試験

| 開発の相 | 実施国 | 対象患者 | 症例数 | 薬物 | 概要 |
|--------------|--------------|------|-----|--|---|
| Phase I 試験 | 英国 | 固形がん | 17 | NC-6004 10~120mg/m ² | <ul style="list-style-type: none">RD,MTD決定PKデータ算出 |
| Phase I/II試験 | 台湾 シンガポール | 膵がん | 40 | NC-6004 30~180 mg/m ² +ゲムシタビン併用 | <ul style="list-style-type: none">併用におけるRD,MTD決定併用における有効性・安全性の検討 |

2. 実施中の臨床試験

| 開発の相 | 実施国 | 対象患者 | 薬物 | 概要 |
|------------|-----|------|--|--|
| Phase I 試験 | 日本 | 固形がん | NC-6004 60~150 mg/m ² +ゲムシタビン併用 | <ul style="list-style-type: none">日本人におけるRD,MTD決定日本人におけるPKデータ算出 |

R D: 推奨用量 (Recommended Dose)
MTD: 最大耐用量 (Maximum Tolerated Dose)
P K: 薬物動態試験 (Pharmacokinetics)



NC-6004 開発状況と今後の開発展開 その2(6月25日時点)

3. 計画中の臨床試験

| 開発の相 | 実施国 | 対象患者 | 薬物 | 概要 | 対象疾患と市場規模 |
|-----------------|-----------|-------------|--|---|--|
| Phase Ib/II 試験 | 米国、 欧州 | 非小細胞肺 がん | NC-6004 +ゲムシタビン併用 | <ul style="list-style-type: none"> 併用におけるRD,MTD決定 併用における有効性、安全性検討 評価指標探索 | <p>◆ 世界標準治療</p> <p>【非小細胞肺がん】 シスプラチン +ゲムシタビン(or アリムタ)</p> <p>【膀胱がん】 ゲムシタビン</p> <p>【頭頸部がん】 シスプラチン+放射線治療</p> <p>◆ 市場性</p> <ul style="list-style-type: none"> 非小細胞肺がんの世界市場規模は2018年までに95億米ドルに達すると予測(Global Information) ゲムシタビン(商品名ジェムザール)世界売上18億米ドル(ピーク時) |
| Phase III 試験 | アジア | 膀胱がん | ゲムシタビン Vs. ゲムシタビン +NC-6004 併用 | <ul style="list-style-type: none"> 有効性検証試験 | |
| Phase II/III 試験 | アジア | 頭頸部がん | シスプラチン +放射線 Vs. NC-6004 +放射線 | <ul style="list-style-type: none"> 併用におけるRD,MTD決定 併用における有効性、安全性検討 | |
| Phase III 試験 | 米国、 欧州 | 非小細胞肺 がん | シスプラチン +ゲムシタビン Vs. NC-6004 +ゲムシタビン | <ul style="list-style-type: none"> 標準治療法を対照とした有効性検証試験 | |

R D: 推奨用量(Recommended Dose)

MTD: 最大耐用量(Maximum Tolerated Dose)

P K: 薬物動態試験(Pharmacokinetics)



最先端 核酸デリバリーの成果

取締役CSO 加藤泰己



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
- ✓ 水溶性が高い高分子のため、薬効を示す細胞内に入りにくい

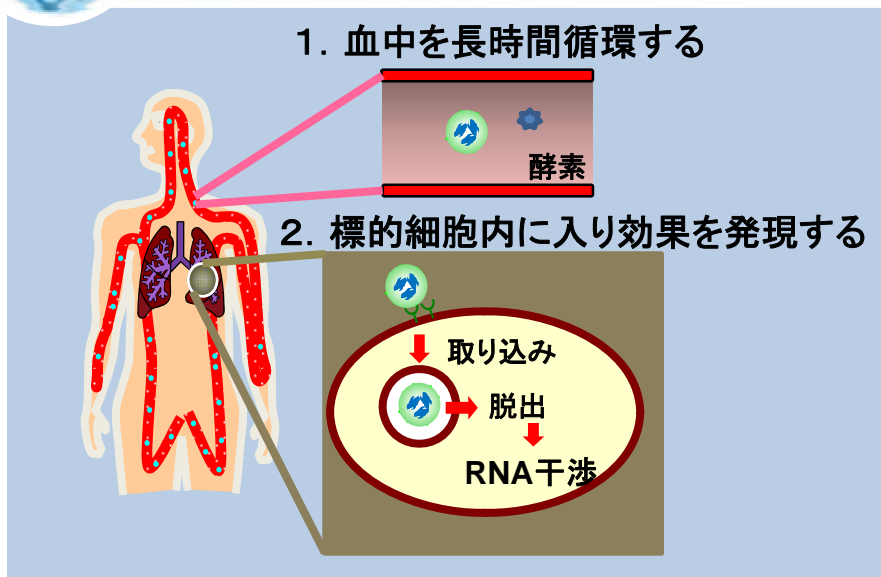
1. siRNAを医薬品とするには送達技術が必須である
2. 細胞内まで入れることができる技術は数多くあるが、細胞質内にsiRNAを効率良く放出できる技術は未だない



ミセル化ナノ粒子で課題解決！！

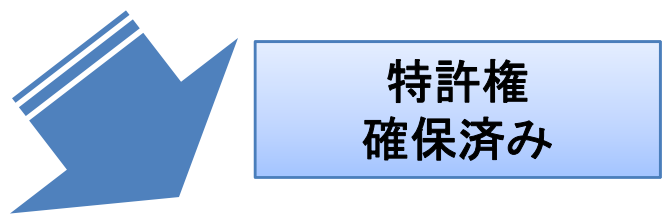


siRNA (核酸)ミセル



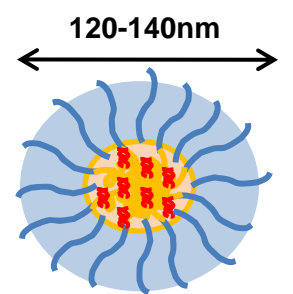
3つのプロトタイプ完成

NanoFect™



システム A

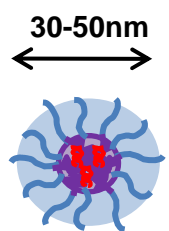
細胞内に取り込まれやすく、細胞質内に効率よく移行するシステム



ナノ粒子の内核(黄色)に核酸(赤色)が結合されており、さらに放出システムと一緒に組み込まれている。

システム B

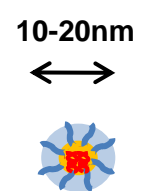
細胞内ATPを利用してsiRNAを放出するシステム



ナノ粒子の内核(紫色)に核酸(赤色)が結合されており、細胞内ATPによってこの結合が切れるため、放出制御ができる。

システム C

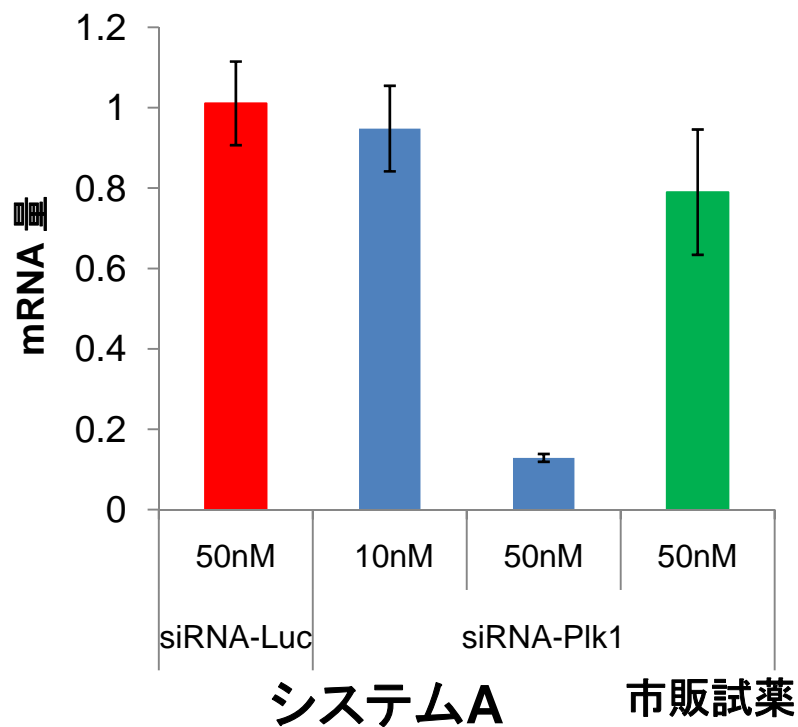
血中滞留性に優れたシステム



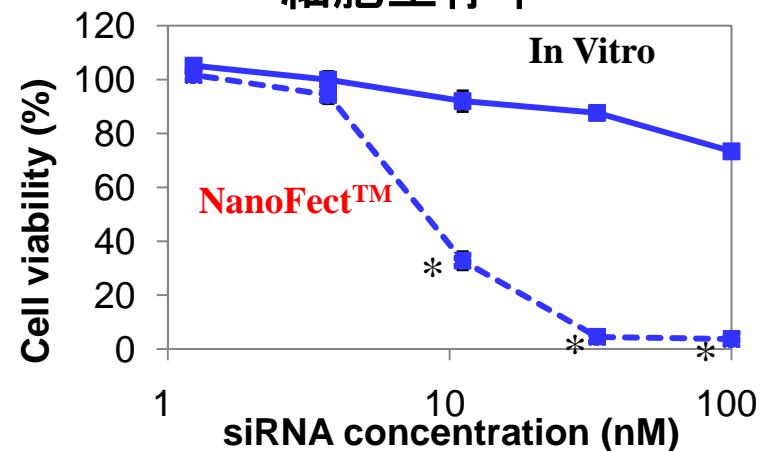
ナノ粒子を構成するポリマー(黄色)と核酸(赤色)がしっかりと相互作用しているため、安定性に優れている。



ターゲット遺伝子のノックダウン

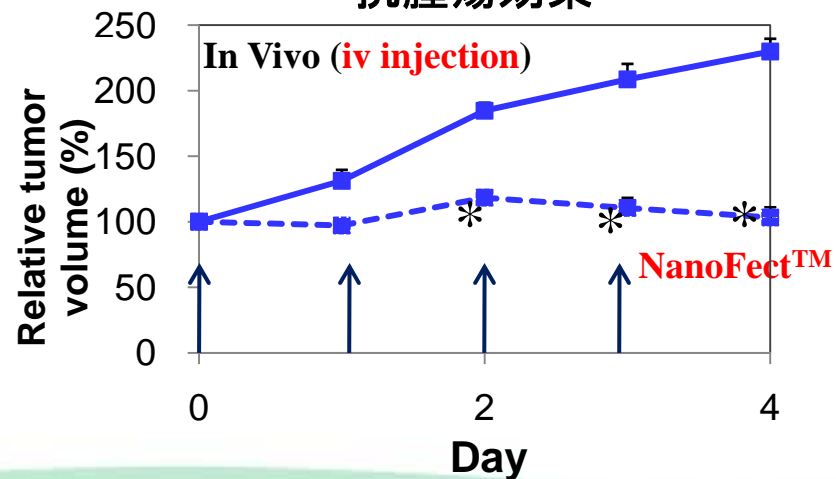


細胞生存率



* < 0.05 vs siRNA-Luc(Control)

抗腫瘍効果



ありがとうございました



ナノキャリア株式会社

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。