

**NEW**  
**NanoCarrier**<sup>®</sup>

**mRNA創薬 IP Generator**

**ナノキャリア株式会社**

代表取締役社長 秋永 士朗

2023年5月31日（水）



# mRNA医薬品インキュベータ型企業へ パラダイムシフト

## **mRNA創薬** *IP Generator*

1. 会社概要
2. mRNA医薬
3. 新たなビジネスモデルと成長戦略
4. パイプラインの進捗状況
5. 2024年3月期 事業計画

# 会社概要



設立	1996年6月14日	
上場市場	東京証券取引所 グローブ市場 (2008年3月5日 東証マザーズ上場)	
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	株式会社 PrimRNA	
	NanoCarrier US Danville, VA	
資本金	119 百万円 (2023年3月31日現在)	
発行済株式総数	70,151,558 株 (2023年3月31日現在)	
役職員	28名 (2023年3月31日現在)	
取締役	代表取締役社長CEO/CSO	秋 永 士 朗
	会長 社外	松 村 淳 (株式会社ウイズ・パートナーズ 代表取締役社長)
	副会長	松 山 哲 人
	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	飯 野 智 (株式会社ウイズ・パートナーズ 取締役COO兼Co-CIO)
	社外	長谷川 由 紀 (株式会社ウイズ・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)	

mRNA医薬品

IP Generator

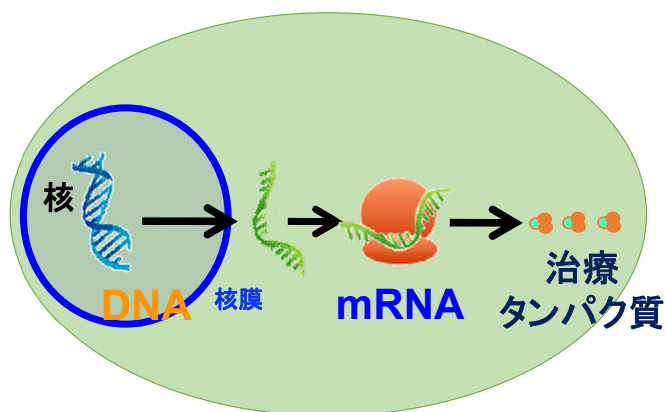
(シーズ⇒ 知財創製⇒ 導出)

非臨床段階

# mRNA医薬品インキュベータ型企業へパラダイムシフト



mRNA医薬



人工的に製造したmRNA を生体に投与し, mRNA にコードされたタンパク質を体内で発現させることにより疾患の予防もしくは治療を行う医薬品

大岡伸道、井上貴雄：薬剤学, 82 (2), 71-78 (2022)

## mRNA医薬の利点

- 1 遺伝子治療との差別化  
核移行は不要でゲノム挿入のリスクがない
- 2 タンパク質医薬との差別化  
細胞内のタンパク質にも応用可能であり生理的な翻訳後修飾を受ける

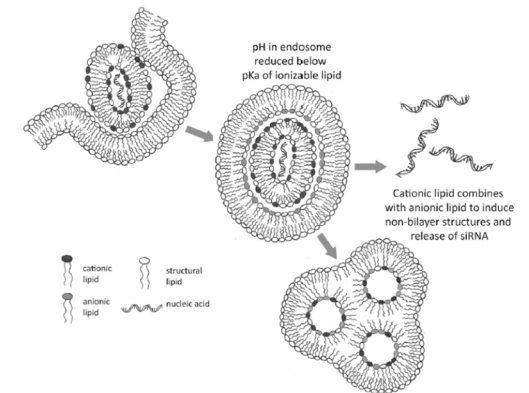
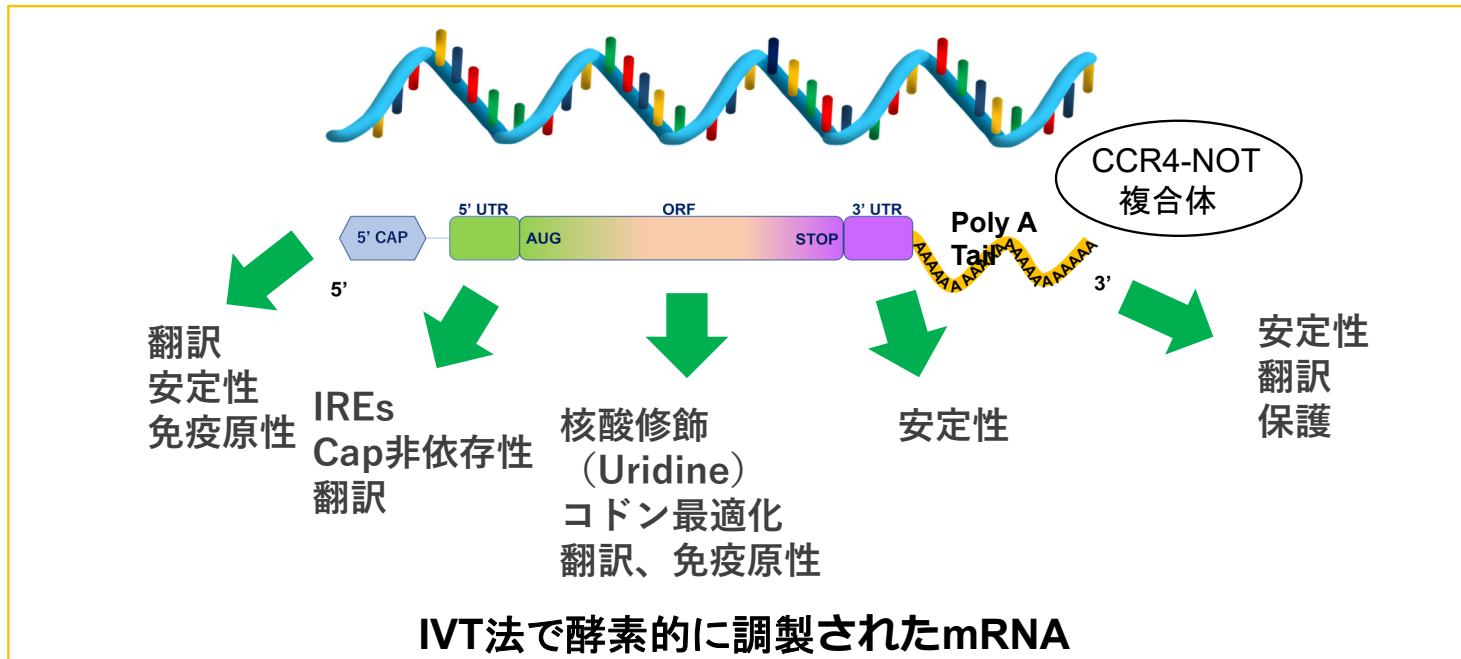
## mRNA医薬の課題

- 1 生体内で不安定  
mRNAは生体内でRNA分解酵素の攻撃を受けやすい
- 2 免疫源性を有する  
非修飾mRNAは自然免疫を活性化  
生体への投与にはDDSが必要

# mRNA医薬の現在地 (2023年1月現在)

世界で承認されているmRNA医薬品はCOVID-19 mRNAワクチンの2剤

- コミナティRTU筋注 (ファイザー/ビオンテック)
  - スパイクバックス筋注 (モデルナ)
- ⇒ 2022年9月には両社共に2価ワクチンの特例承認取得



脂質ナノ粒子(LNP)

mRNAワクチンはIVTで合成されたmRNAと脂質ナノ粒子(LNP)から構成され

**感染症のパンデミック期に対応するワクチン技術としては一つの“完成形”**

mRNA医薬の開発がLNPとの組み合わせで進んでいる (元来は肝臓ターゲティングDDSで脾臓、リンパ節にも分布)



# mRNA医薬：広範な応用範囲

mRNA医薬は多様な疾患に適応可能

## ワクチン

- I. 感染症予防ワクチン COVID19、Influenza、CMV、RSV、Zika、Deng 等
- II. がんワクチン Shared Antigen或いはNeo antigen
- III. 免疫寛容ワクチン 各種のアレルギー疾患（食物、花粉、MS等）

## 組織再生医療 (Local Tissue Regenerative Medicine)

VEGF-A、IGF-1、BMP-2、HNF4A、BDNF、RUNX1等（増殖因子、転写因子等）

## 遺伝子欠損疾患/希少疾患

酸素欠損症の補充療法（遺伝子治療の代替）

但し、従来型の組み合わせには限界？

- mRNA： より高純度、かつ翻訳効率が高いmRNAの必要性
- 脂質ナノ粒子： DDSなし、或いは副作用の低いDDSの必要性

*With so much potential in cancer and infectious disease, it's reasonable to wonder: What can't RNA technology do? "We don't know yet," Weissman said. "It's a matter of testing." Drew Weissman, M.D., Ph.D., a U Penn Professor Fierce Biotech 2023 JAN 9*



# mRNA医薬品インキュベータ型企业へパラダイムシフト



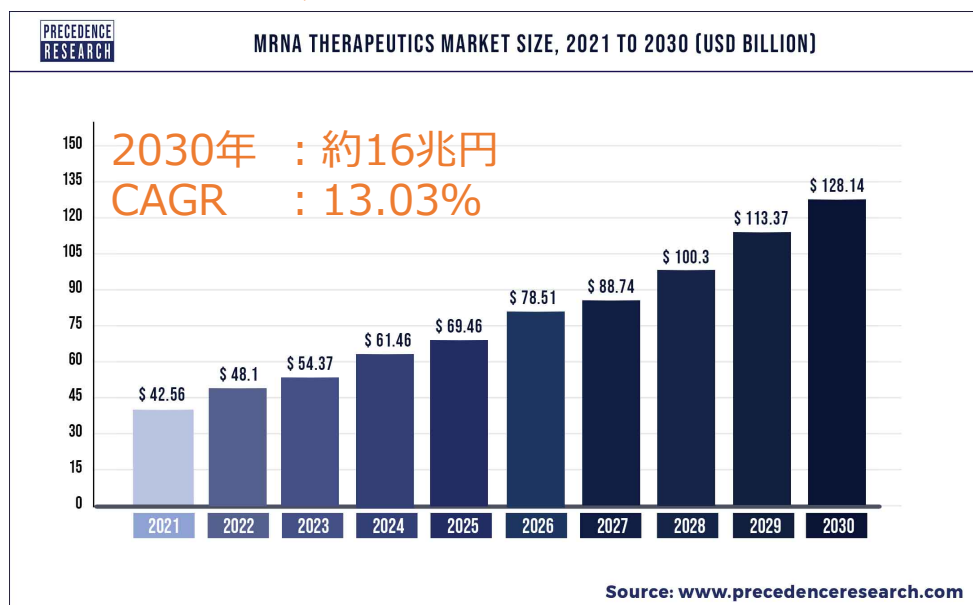
新たなビジネスモデルと成長戦略

◆ COVID-19ワクチンから、予防ワクチン、治療ワクチン、治療薬に対象が拡大

◆ 製薬企業はmRNA医薬品開発に資金投入

モデルナ2023年のmRNA研究開発費用は約5800億円の予定 (2023年1月のJPMコンフェレンスでの発表資料より)

## mRNA市場予測



## mRNA関連の大きなdeal (2022-2023)

約1,600  
億円

モデルナ、がん治療薬開発CytomXと  
mRNA使用契約締結(2023/1/5)

<https://ir.cytomx.com/news-releases/news-release-details/cytomx-and-moderna-announce-strategic-research-collaboration>

約5,800  
億円

CSL SeqirusがArcturus Therapeuticsと  
ライセンス契約を締結 (2022/11/1)

<https://ir.arcturusrx.com/news-releases/news-release-details/arcturus-announces-collaboration-csl-develop-and-commercialize>

約4,700  
億円

メルクとOrna Therapeuticsが、環状RNA技術に  
基づくワクチンなどの開発で提携 (2022/8/16)

<https://www.merck.com/news/merck-and-orna-therapeutics-collaborate-to-advance-ornas-next-generation-of-rna-technology/>

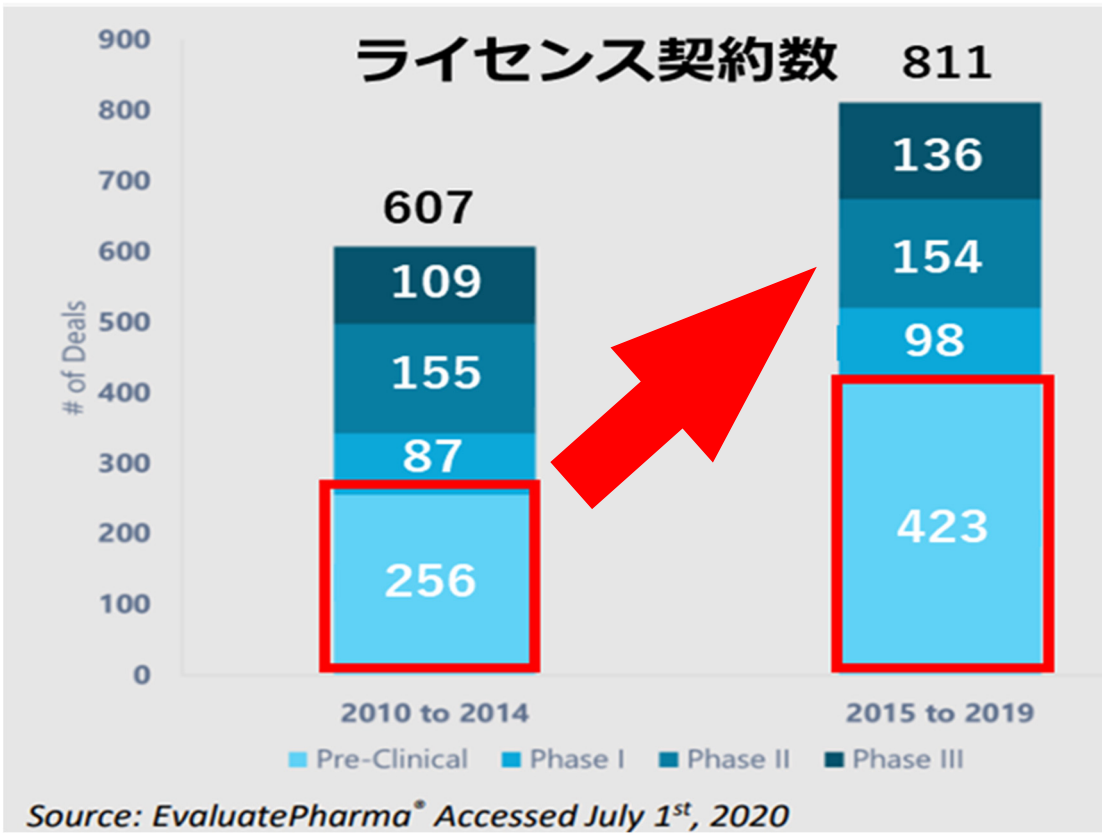
約1,700  
億円

ファイザーがBeam Therapeuticsと遺伝子治療に  
関する研究契約を締結 (2022/1/10)

<https://www.pfizer.com/news/press-release/press-release-detail/pfizer-and-beam-enter-exclusive-multi-target-research>

\* 1ドル130円で換算

## 非臨床ステージの契約数が増加



# 新ナノキャリアのmRNA創薬実施体制

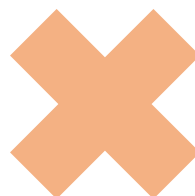
AXCELEADグループ、IPGaiaとの包括提携を  
**資本提携**にアップグレード  
相加ではなく、**相乗効果**

大手製薬企業或いは欧米のバイオベンチャーにも匹敵する  
70-80名規模での  
mRNA医薬品の**研究開発・事業開発体制が確立**

## ナノキャリア

2016年からmRNA創薬を開始

- 知識、経験、知名度
- 創薬シーズ探索力、DDS
- 研究開発資金



## AXCELEADグループ

mRNA創薬の推進エンジン

候補mRNAの開発



ARCALIS

ケーパビリティ

CMC開発、GMP基準の原薬・製剤工場

創薬ソリューション



トラックレコード

IND:100-

NDA: 20-

## IPGaia

mRNA創薬の事業開発エンジン

製薬会社のニーズ探索

事業開発活動 (導入/導出) **IPGaia**

IPGメンバーシップ 29社

10社が外資系企業

製薬会社世界売上高TOP15のうち、

IPG会員: 7社 (47%)

# RNA創薬バリューチェーン

## シーズから非臨床に特化

### 研究

### 非臨床試験

ステージごとの医薬品開発成功確率※ 69%

※NATURE REVIEWS DRUG DISCOVERY, Vol.20.,203-214, March 2010

臨床（第I～III相） 承認/上市

I相:54% II相:34% III相:70% 91%

#### シード探索

#### オープンイノベーション

- ・ アカデミア
- ・ 非製薬企業
- ・ 製薬企業

自社

#### 開発候補創製

- ・ mRNAデザイン
- ・ 送達法選択
- ・ 製剤化
- ・ 薬効薬理 (特徴付け/差別化)
- ・ 知財権確保

#### IND申請準備

- ・ 薬効試験 (信頼性基準適用)
- ・ ADME試験
- ・ GLP安全性試験
- ・ 規制当局相談
- ・ IND申請資料\*
- ・ IND申請

臨床開発リスクの高さを踏まえ、後期ステージの開発リスクを負わない収益化モデルにシフト

mRNAの創製および非臨床開発を行い、開発/販売権を他社へライセンスアウト

契約一時金、マイルストーンや上市後の販売高に対するロイヤリティを受領

### AXCELEADグループと一体となったmRNA創薬



mRNAの設計・製造: ARCALIS



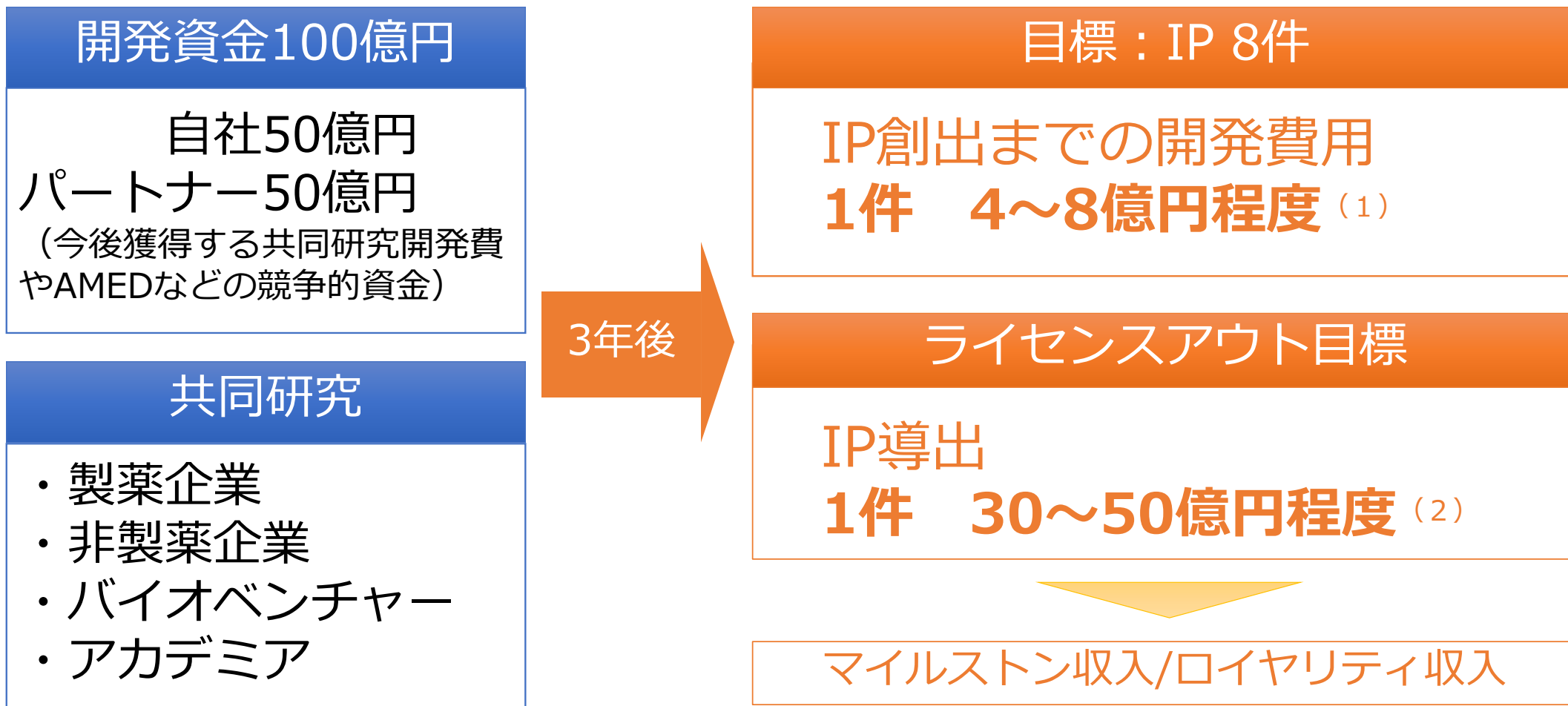
薬効評価・非臨床試験: ADDP



IPGメンバーシップを有効活用したmRNA創薬事業開発

mRNA IP Generator

# ナノキャリアの収益モデル(mRNA医薬IP Generator)



(1) 本数字は低分子創薬のIND申請までの平均開発費6.5億円 (参考資料：[Nature Reviews Drug Discovery](#) volume 9, pages203–214 (2010)) をベースに想定(為替レート 130円 (2023.1.23時点) で計算。対象疾患などによっては大きく変更になる可能性があります。

(2) [https://www.fosterrosenblatt.com/images/Maximizing-value-during-pharma\\*In-licensing-transactions-by-FR.pdf](https://www.fosterrosenblatt.com/images/Maximizing-value-during-pharma*In-licensing-transactions-by-FR.pdf) (為替レート 130円 (2023.1.23時点) で計算すると一時金4.4億円程度)



# mRNA医薬のプレイヤー

## 競合でもありパートナーにもなり得るmRNA医薬の開発企業

モデルナおよびビオンテックの2大企業に欧米の老舗・新興バイオテック企業が挑む構図

- 2<sup>nd</sup> tierまでは既存のIVT mRNA + LNP技術で創薬
- 3<sup>rd</sup> tierにはcircular RNA等の新技術を応用する企業あり
- 4<sup>th</sup> tierではSynthetic Biology、Precision mRNA therapy等多彩な技術を応用

### Two mega mRNA Biotech Companies



### Second Tier mRNA Biotech Companies



### Third Tier mRNA Biotech Companies



### Novel mRNA Biotech Companies




# mRNA医薬品インキュベータ型企業へパラダイムシフト



パイプラインの進捗状況

# mRNA医薬パイプライン (開始準備中を含む)



標的	領域	疾患	シード	非臨床	臨床	パートナー
RUNX1	組織再生	変形性関節症		CiCLE		PrimRNA 
2024 1Q IND申請予定						
A	ワクチン	感染症				
B	ワクチン	免疫疾患				
C	組織再生	眼疾患				
D	組織再生	耳鼻科疾患				
E	ワクチン	がん				

F, G, H, I, J...外部から積極的にシーズを導入する

**今後、パイプライン数を倍増し、早期 (IND、PI、PII) アライアンスを目指すビジネスモデルに完全転換**

変形性膝関節症に対するDMOAD (Disease-modifying osteoarthritis drug)

## RUNX1 mRNA

軟骨・骨の変形に作用し、OAの進行を抑制および疼痛の軽減を実現

**2023年度 医師主導治験開始予定**

### 変形膝関節症：

日本における有病者数は約2,530万人、有症状患者数は約 800 万人から1,000万人と推定され（出典：厚生労働省「患者調査の概要」）、社会の高齢化が進むため患者の対総人口比はさらに上昇すると予想されている。

### 現在の治療法

- 手術または対症療法（局所注射薬：ヒアルロン酸、ステロイド、経口薬：アセトアミノフェン、NSAIDs、オピオイド）

### RUNX1 mRNA

- 軟骨組織の再生を促進、症状の改善または進展を抑制するとともに痛みを軽減するDMOAD
- 適応ステージ  
グレード2以上の膝OA（関節裂隙狭小化を観察）
- 剤型・投与方法  
RUNX1mRNAとポリマーの複合体からなる注射剤  
関節腔内に投与

**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 (2023年度予定)

**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 秋永士郎 (所属 : ナノキャリア株式会社 代表取締役社長)

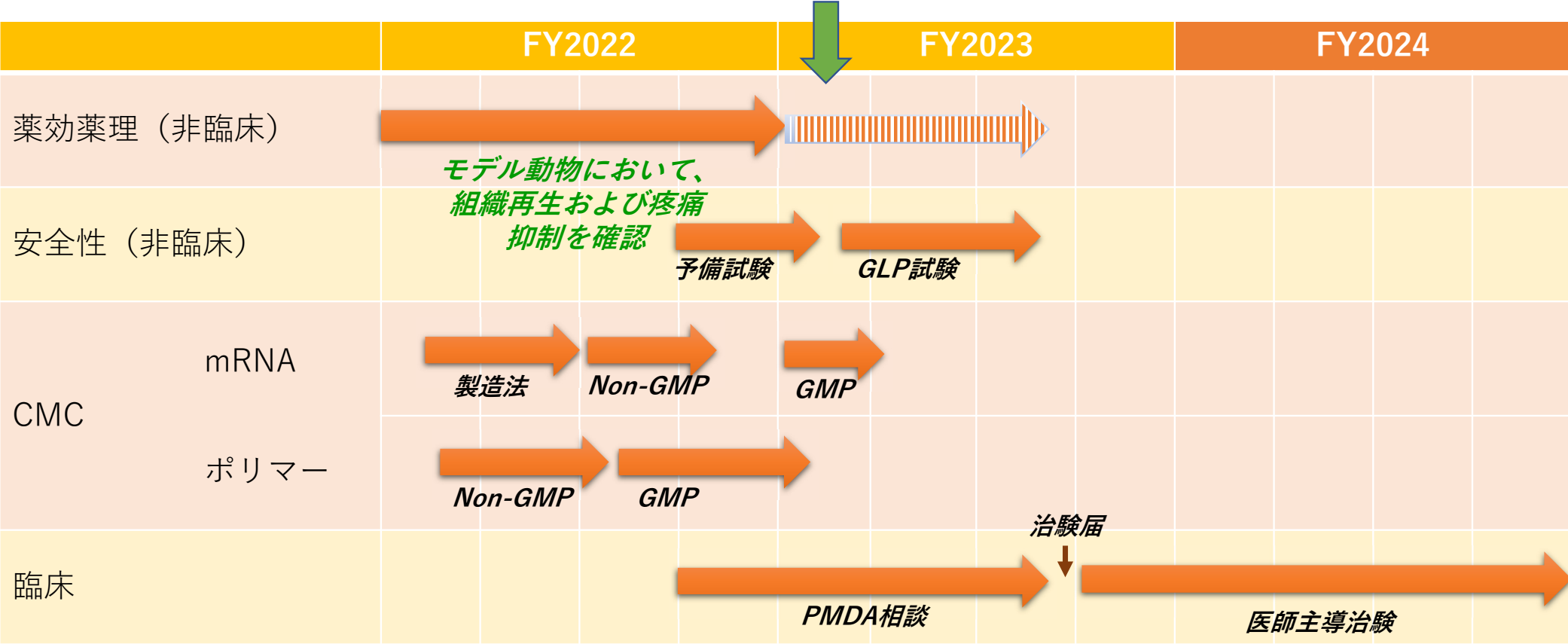
取締役研究開発担当 吉田聖 (所属 : ナノキャリア株式会社 研究開発企画部 部長)

取締役 藤澤朋行 (所属 : アクセリード株式会社 会長)



アクセリードグループ  
との協業の原点

# RUNX1 mRNA:研究開発計画および進捗





# mRNA医薬以外のパイプライン



品目	対象疾患	非臨床	ph1	ph2	ph3	申請	承認	開発地域	パートナー
コムレクス® 新規耳科用抗菌薬	中耳炎/外耳炎							日本	共同開発 CEOLIA
※国内製造販売承認取得 2023年3月27日 (開発コード: ENT103)									
NC-6100 PRDM14 (siRNA)	乳がん							日本	医師主導治験 がん研有明病院
TUG1 (ASO)	膠芽腫							日本	共同研究 名古屋大学
※AMED採択 2023年4月~ (2020年4月~2023年3月に続き2期連続で採択)									

## 契約

CEOLIA  
契約日2018年6月14日

製造・販売・プロモーションなどはセオリアファーマが担当し、利益をシェア

耳鼻科領域のスペシャリティファーマ  
セオリアファーマとの共同開発

# コムレクス<sup>®</sup> 耳科用液1.5%

(開発コード：ENT103)

**2023.5：薬価収載**  
**1瓶（5mL） 1584.50円**

## コムレクス<sup>®</sup>耳科用液1.5%

- ✓ 本製品の有効成分であるレボフロキサシンは、オフロキサシンの一方の光学活性体で約2倍の抗菌活性
- ✓ 有効成分含有量は、オフロキサシン耳科用液0.3%の5倍

<b>販売名</b>	コムレクス <sup>®</sup> 耳科用液1.5%	
<b>一般的名称</b>	レボフロキサシン耳科用液	
<b>効能又は効果</b>	適応菌種	本剤に感性のブドウ球菌属、レンサ球菌属、肺炎球菌、モラクセラ（ブランハメラ）・カタラーリス、肺炎桿菌、エンテロバクター属、セラチア属、インフルエンザ菌、緑膿菌、アシネトバクター属
	適応症	外耳炎、中耳炎
<b>用法及び用量</b>	通常、1回6～10滴を1日2回点耳する。点耳後は約10分間の耳浴を行う。 なお、症状により適宜回数を増減する。	
<b>製造販売元</b>	セオリアファーマ株式会社	

# TUG1 ASO

がん細胞の生存に必須な非翻訳長鎖RNAを  
標的とする膠芽腫治療薬

## TUG1 ASO

がん細胞の異常増殖に伴う複製ストレス  
を増大させることにより細胞死を誘導、  
既存薬と併用可能ながん選択的ASO医薬

**2023年度 医師主導治験開始予定**

### 膠芽腫：

- 脳腫瘍の中でもっとも悪性度の高い腫瘍
- 生存期間の中央値は約1年、2年生存率30%以下、5年生存率8%以下
- 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。（出典：脳腫瘍全国集計調査）

2020年4月～2023年3月

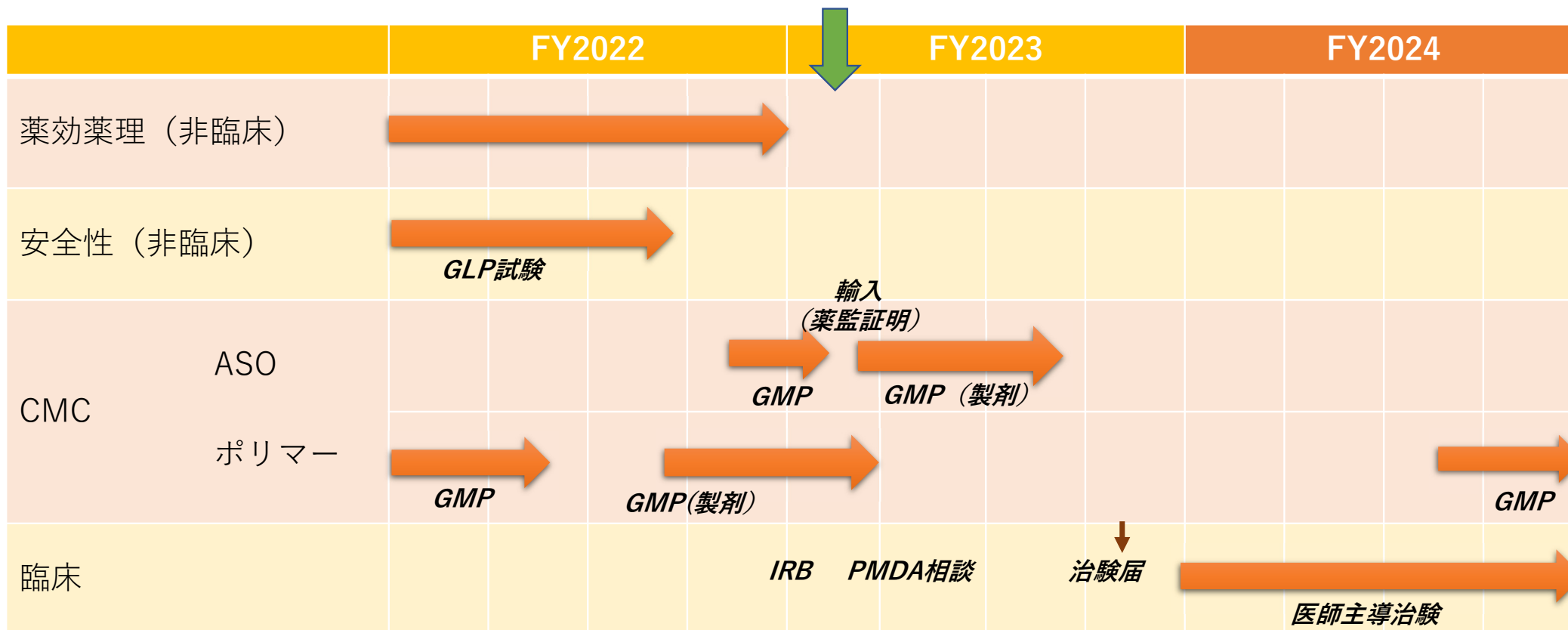
- AMED革新的がん医療実用化研究事業(終了)



2023年4月～2026年3月

- AMED革新的がん医療実用化研究事業に採択  
(名古屋大学・近藤豊先生)

# TUG1 ASO : 研究開発計画および進捗



革新的がん医療実用化研究事業 (AMED) \*

革新的がん医療実用化研究事業 (AMED) \*

\* : 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 (ナノキャリアは研究分担機関として参画)

革新的がん医療実用化研究事業に2期連続で採択

# NC-6100 siRNA：第I相臨床試験



乳がんなどに高発現する転写因子RRDM14を阻害するsiRNA医薬

## NC-6100

siRNA医薬

治療法が限られ再発率が30%-50%と高いトリプルネガティブ乳がんを標的とするsiRNA医薬

### トリプルネガティブ乳がん：

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。  
(出典：厚生労働省 人口動態調査)

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。

2020年9月 医師主導第I相臨床試験開始  
(がん研有明病院)

投与量レベル	SRN-14 (mg/kg)	投与量 (SRN-14/GL2-800 として mg/kg)
0	0.01	0.61
1	開始用量 0.03	1.83
2	0.10	6.1
3	0.30	18.3
4	0.60	36.6

用量漸増法  
(3+3デザイン)

# mRNA医薬品インキュベータ型企業へパラダイムシフト



2024年3月期 事業計画



## 2023年3月期 貸借対照表



(単位：百万円)	2022年3月31日 (A)	2023年3月31日 (B)	増(減) (B)-(A)
現預金、運用債券等（手許流動性）	5,945	4,443	(1,502)
その他流動資産	359	225	(134)
固定資産	832	1,115	283
資産合計	7,136	5,784	(1,352)
転換社債型新株予約権付社債	1,150	1,108	(42)
その他負債	419	422	3
純資産	5,566	4,253	(1,313)
資本金及び資本剰余金	10,297	5,618	(4,679)
利益剰余金	(4,717)	(1,371)	3,346
その他有価証券評価差額金	(43)	4	47
新株予約権	30	2	(28)
負債・純資産合計	7,136	5,784	(1,352)

※当連結会計年度より連結決算に移行したため、前期末の資産、負債、純資産は単体数値を表示しております。

# 事業計画(2024年3月期)



(単位：百万円)	2023年3月期実績 (連結)	2024年3月期レンジ予想 (連結)	増減
売上高	202	143	(59)
売上原価、販売費及び一般管理費	1,448	1,186~1,526	(262)~78
内：研究開発費	1,120	816~1,150	(304)~30
営業（損失）利益	(1,246)	(1,042)~(1,382)	204~(136)
経常（損失）利益	(1,104)	(995)~(1,335)	109~(231)
親会社に帰属する当期（純損失）純利益	(1,310)	(1,029)~(1,369)	281~(59)

※2024年3月期の業績予想につきましては、レンジ形式により表示をしております。

## 2024年3月期 売上高の内容

- 化粧品材料供給、共同研究収入等

## 2024年3月期 研究開発費の内容

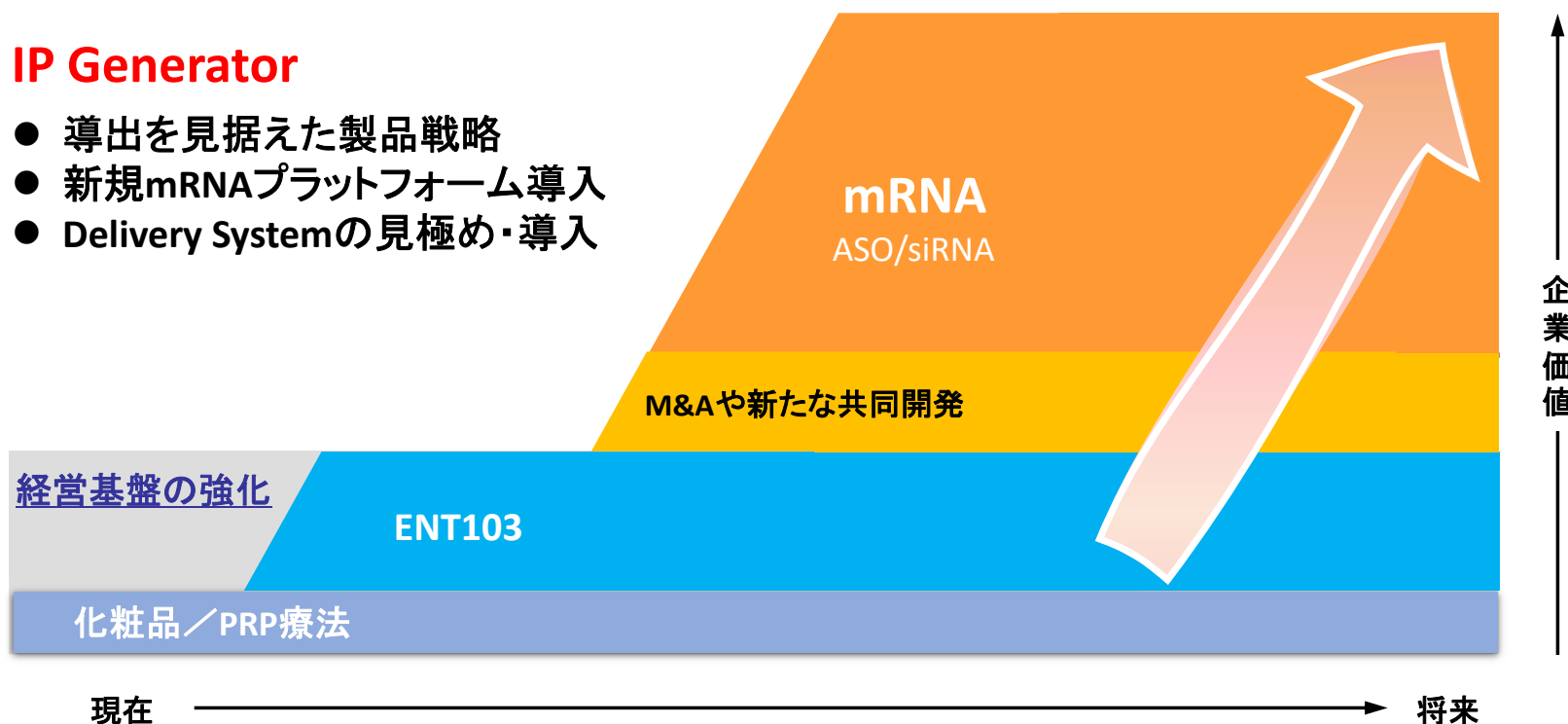
- mRNA創薬ビジネスの本格稼働
- RUNX1 mRNA：医師主導治験（AMED CiCLE）に向けた活動
- TUG1 ASO：医師主導治験（AMED 革新がん）に向けた活動

## Transform to RNA drug discovery company

mRNA医薬を中心に研究開発を推進し  
ファーマへの早期導出を目指す企業へ

### IP Generator

- 導出を見据えた製品戦略
- 新規mRNAプラットフォーム導入
- Delivery Systemの見極め・導入



**NEW**

**NanoCarrier®**

**mRNA創薬 IP Generator**

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。

ナノキャリア株式会社 コーポレートコミュニケーション部 03-3241-0553