

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

ナノキャリア

4571 東証マザーズ

企業情報はこちら >>>

2020 年 2 月 3 日 (月)

執筆：客員アナリスト

清水啓司

FISCO Ltd. Analyst **Keiji Shimizu**



FISCO Ltd.

<http://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. 主力の抗がん剤の開発動向	01
2. 遺伝子治療薬 VB-111 の開発動向	01
3. DDS の豊富な経験・知識と、がん領域から次世代医薬品まで幅広い技術資産を保有	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業概要	04
3. 特徴と強み	06
■ 開発パイプラインの動向	08
1. 自社技術のパイプライン	08
2. 導入パイプライン	09
3. 次世代パイプライン候補について	10
■ 業績動向	10
1. 2020 年 3 月期第 2 四半期業績の概要	10
2. 2020 年 3 月期の業績見通し	11
3. 財務状況と新株予約権発行などについて	11
■ 今後の取り組み	12
1. 新規開発テーマや共同開発の仕込み	12
2. 「サイエンティフィック・アドバイザーボード」の創設	12

要約

DDS 技術をベースに、 がん治療薬からヘルスケア品まで幅広くラインナップ

ナノキャリア <4571> は、1996 年にミセル化ナノ粒子発明者ら 3 名によって設立されたバイオベンチャーである。社名はナノ技術（ミセル化ナノ技術）とキャリア（薬物の運び屋）の造語である。自社のプラットフォーム技術（DDS：ドラッグデリバリーシステム）で創薬を行う数少ない企業で、抗がん剤（既存・休眠・新規）を自社技術「ミセル化ナノ粒子」に封入し、患部に直接運ぶことにより、薬物の効率的な生体内利用が可能となる。副作用を少なくして薬効を高める創薬の裾野拡大に貢献する。

同社は自社開発パイプラインを、進行中の「NC-6004」「NC-6300」に絞り込み、開発後期にある臨床開発に集中投資。また、経営基盤の強化を図る目的で、導入活動も併せて進めており、導入パイプライン（「VB-111」など）は、開発後期や販売段階にあるものを選択し、早期収益化を目指している。

1. 主力の抗がん剤の開発動向

主力開発パイプラインのうちの 1 つである NC-6004（シスプラチンミセル）は、膵がんを対象とした第 III 相臨床試験および頭頸部がんを対象とした第 II 相臨床試験が進行中だ。2019 年 12 月 27 日に、実施中の膵がんを対象とした第 III 相試験の結果を用いた「国内の承認申請はしない」と発表している。今後、データ固定が行われ、詳細な解析が実施されるが、この結果を踏まえて、膵がんの国内開発についてどのような追加試験が必要であるか等を検討するとしている。2014 年より膵がんを対象とした NC-6004 とゲムシタビンの併用臨床試験を実施してきたが、断念の理由としては「膵がん治療の標準療法が変化し、比較対象群であったゲムシタビンが第 1 選択薬でなくなったため、承認取得には追加試験が必要になる」としている。創業社長である中富一郎（なかとみいちろう）氏は説明会の中で「ミセル化ナノ粒子に入れる薬物であるケモセラピー（化学療法）を用いたがん治療において、併用薬剤との関係性が複雑でより難しくなっている。今後は、免疫チェックポイント阻害剤との併用ががん治療のトレンドとなる」とコメントしているが、同社は、2019 年から既に手は打っていたようで、NC-6004 では免疫チェックポイント阻害剤併用による頭頸部がんを対象とした第 II 相試験を実施しており、同社として「新規併用がん治療法」の早期確立を目指しており、今後に期待したい。

NC-6300（エピルピシンミセル）は、ミセル化ナノ粒子の医薬品技術としての実証を急ぐため、早期の承認取得をめざし、希少がんをターゲットとした開発を進めている。

2. 遺伝子治療薬 VB-111 の開発動向

VB-111 は VBL Therapeutics. (NASDAQ: VBLT、本社：イスラエル、以下「VBL」) が開発した遺伝子治療薬で、同社は 2017 年 11 月に国内での開発・商業化権を取得（15Mill\$）した。プラチナ抵抗性卵巣がんを対象にした米国第 III 相試験を VBL が実施中で 2020 年 3 月期第 4 四半期に中間解析を予定している。プラチナ抵抗性卵巣がんはアンメットニーズ（難治性疾患だが適切な治療法がない）があることから、同社では本試験の進捗を踏まえ、国内臨床試験を開始する準備を進めている。既にカルタヘナ法に基づく第一種使用規程を承認取得済みで、遺伝子治療薬 VB-111 を国内で取り扱うことができる態勢を整えている。

要約

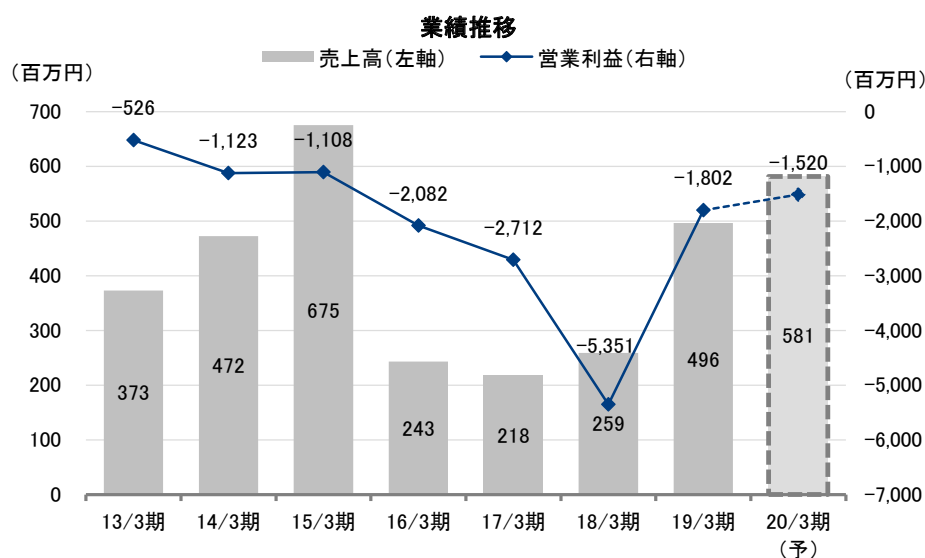
一方、先行していた悪性神経膠芽腫（rGBM）については、米国で実施された第 III 相試験において主要評価項目の未達成が 2018 年 3 月に発表された。本試験は、成績の良かった第 II 相試験の試験デザインを FDA との相談に基づき変更しており、併用療法における投与タイミングの違いが結果に影響したものと考えられている。本仮説の検証として、第 II 相、第 III 相臨床試験に携わった医師らにより、rGBM を対象とした医師主導試験がまもなく開始される。さらに、消化器がんを対象とした新たな臨床試験（免疫チェックポイント阻害剤併用）も準備中である。

3. DDS の豊富な経験・知識と、がん領域から次世代医薬品まで幅広い技術資産を保有

同社はこれまで数多くの臨床試験（治験）に取り組んできた。抗がん剤の開発においては、一つの臨床試験における主要評価項目が未達になったからと言って、対象とする製剤の価値がゼロになる訳ではない。前述のケースのように、結果を考察することで、臨床試験をやり直すケースが多い領域だ。疾患を変更して試行、適応症や投与量、投与タイミングなどの見直し、併用薬の選定等、様々な角度から検討が行われるようだ。抗がん剤の開発は、諦めずに“手を変え、品を変えて”取り組み、実用化にもっていく。がん治療薬の環境は常に変化しており、それらに対応するために、新しいことにチャレンジすることが大切である。結果として、同社では DDS の豊富な臨床的な経験・知識と、がん領域から次世代医薬品（抗体、核酸）まで幅広い技術資産が蓄積されてきた。そのバックグラウンドから、同社の抗がん剤など革新的治療薬が世の中に出ることを期待してやまない。

Key Points

- ・ 遺伝子治療薬 VB-111 の米国臨床第 III 相試験の中間解析発表（2020 年 3 月期第 4 四半期）に期待が高まる
- ・ 主力の抗がん剤（NC-6004、NC-6300）の臨床開発進捗に注目
- ・ DDS の豊富な臨床的な経験・知識と、がん領域から次世代医薬品まで幅広い技術資産を保有



出所：決算短信よりフィスコ作成

会社概要

創薬バイオベンチャーとして着実に進化・成長

1. 会社沿革

同社は、東京大学 片岡一則（かたおかかずのり）特任教授、東京女子医科大学 岡野光夫（おかのてるお）特任教授らにより発明された「ミセル化ナノ粒子技術」を DDS※製剤に応用し事業化する目的で、1996 年に前社長である中富一郎氏とともに設立されたベンチャー企業である。当時を知る創業メンバーの話では、DDS のメッカである米国ユタ州で片岡、岡野、中富の 3 氏が知り合い意気投合、ミセル化ナノ粒子技術を世界に向けて日本から発信するため新会社を設立することとなった。すなわち、3 氏がファウンダー（創業者）ということになる。

※ DDS：ドラッグデリバリーシステム（drug delivery system）とは、体内での薬物分布を制御することで、薬物の効果を最大限に高め、副作用を最小限に抑えることを目的とした技術を指す。

同社は東京女子医科大学や東京大学の研究者によるミセル化ナノ粒子の技術移管や基本特許のライセンス契約を基に、日油<4403>とのポリマー供給契約、日本化薬<4272>とのパクリタキセルミセルの共同開発及びライセンス契約を締結してきた。また、自社での臨床開発も進め、パイプラインの創出を行ってきた。同社は 2008 年 3 月東証マザーズへの株式上場を果たしたが、同年 9 月のリーマンショックにより、同社の株価も低迷する期間が続いた。リーマンショック前後は、日本では投資が著しく冷え込んだ時期でもあり、いずれのベンチャー企業もそうであったように、研究開発に必要な資金調達が困難であった。同社も上場時の調達資金が非常に低い水準となり、それまで行っていた欧州での開発を次ステージへ展開することが困難となり、開発戦略の変更を余儀なくされる。同社は、すぐにアジア展開に目を向け、台湾の製薬会社である Orient Europharma Co., Ltd.（以下 OEP）とのアジア地域における NC-6004 ライセンス契約（投資による資金調達など）を締結することができ、開発を着実に進めることにした。

バイオベンチャーは資金不足による開発延滞や中止などが懸念されるが、同社は 2012 年にウィズ・パートナーズ（株）からの資金調達および信越化学工業<4063>から第 3 者割当増資と材料製造技術に関する共同研究契約を締結し、2013 年にはグローバルファインダー（主幹会社 JP モルガン <JPM>）がアレンジャーとなり欧米、アジアの機関投資家から約 90 億円の資金調達を行い、各パイプラインの開発を着実に推進することに成功している。当時、自社のプラットフォーム技術で創薬を行う数少ない企業として、パイプラインの開発戦略や創薬の裾野の広がり方が機関投資家に訴求しやすかったと言える。また、2012 年 iPS 細胞の山中伸弥（やまなかしんや）先生がノーベル賞受賞によりバイオベンチャーブームが再燃したこともフォローの風が吹いた。

2013 年の大型資金調達により、複数の臨床試験が進められるようになった。さらに、がん治療薬の研究や臨床開発経験者など幅広い人材を中途採用できるようになった。このころから、自社開発として欧米での臨床開発もスタートしている。また、併行してパイプラインの導入も進めている。2017 年 11 月にイスラエルの VBL からライセンスインした遺伝子治療薬が、米国第 III 相臨床試験段階（プラチナ抵抗性卵巣がん）にある。これは、2020 年 3 月期第 4 四半期にも中間解析が実施される予定で、国内開発に期待が寄せられている。また、不妊治療や耳鼻科領域における製品の導入も進めており、ミセル化ナノ粒子の実用化を中心としながらも、早期に経営基盤を安定化する目的としている。

会社概要

2. 事業概要

事業領域			
導入技術 (ミセル化ナノ粒子)	共同研究開発	遺伝子治療薬 VB-111 (卵巣がん/rGBMなど) VBL社	耳鼻咽喉科領域 ENT103 (中耳炎) セオリア
	導出	NC-6004 (膵がん/頭頸部がん) OEP NC-6300 (軟部肉腫)	再生医療領域 Acti-PRP (不妊治療) エイオン
		NK105 (乳がん) 日本化薬	
		がん領域	新領域
			ヘルスケア周辺領域

出所：会社提供資料より掲載

(1) コア事業領域：抗がん剤

自社プラットフォーム技術を用いた抗がん剤の開発を主要事業としているが、導入によるパイプラインの強化も図っている。標的は固形がん領域である。

● 自社プラットフォームによる開発品

a) シスプラチンミセル (NC-6004)

シスプラチンは、その有効性により各領域のがん化学療法の中心的薬剤となっている。一方で、シスプラチンの腎機能障害、神経障害や催吐作用が極めて強いため、がん患者にとって苦痛度が高く、さらに投与の際には長時間にわたる大量の輸液が必要なことから、患者の生活の質（QOL）を著しく低下させている。同社では、シスプラチンが持つこれらの副作用を軽減し、かつ抗腫瘍効果の増強も期待できる新薬を目指している。

b) エピルピシンミセル (NC-6300)

エピルピシンは、乳がん、卵巣がん、胃がんなどの適用症で世界的に普及しているアントラサイクリン系抗がん剤だが、投与を重ねると心臓毒性を引き起こすので、その使用が制限されている。同社では、細胞内の pH 変化に応答して薬物を効果的に放出するシステムを開発した。薬物を化学結合して封入したミセル化ナノ粒子は、エンドソームと呼ばれる細胞膜が陥没して形成される小胞に取り込まれると考えられている。エンドソーム内の pH は酸性であることが知られており、この pH の低下により薬物とミセルの結合が外れて、薬物が放出される機能を搭載。同社では、時間的かつ急激に薬物をがん細胞内に放出することで、さらなる副作用の軽減と薬効増強が期待できる新薬を目指している。

なお、仮に主力品目 (NC-6004、NC-6300) をライセンスアウトした場合、一時金で“2 ケタ”億円が見込まれる。また、その後のマイルストーンやロイヤリティ収入も期待できる。

会社概要

● 導入による開発品

c) 遺伝子治療薬 VB-111

VBL 社（イスラエル）からライセンスを受けた遺伝子治療薬である。同社のミセル化ナノ粒子製剤は、腫瘍細胞を標的にした治療薬を目指しているのに対し、VB-111 は腫瘍血管を標的としてがんを兵糧攻めにするとともに、腫瘍免疫を惹起する効果が期待できる。ミセル化ナノ粒子とは異なるメカニズムによる治療薬をパイプラインに持つことで、がん領域における同社の選択肢が広がり、経営基盤強化に資する。

一般論として、臨床試験には規模により通常数十億円～数百億円ほど必要であるが、第 III 相臨床試験段階にあれば十分に投資に値すると考えられる。同社は開発資金のみならず、経営基盤強化のための事業提携等を実施するためのキャッシュも調達済みであったため、2017 年 11 月に VBL と国内開発・商業化権を取得することとなった。この事業は、同社プラットフォーム技術の実用化事業と異なり、既存事業領域外ではあるが、最先端遺伝子治療薬分野であり、デリバリーということでは、事業特性は類似している。また、遺伝子治療薬 VB-111 は、近年話題となっているウイルス製剤であり、また免疫惹起作用も持ち合わせるなど、がん治療環境のニーズを満たしている。さらには、全身投与型で各種多様な固形がんなどへ応用拡大が見込める。

同社では自社技術（NC-6004、NC-6300 など）と導入技術（VB-111）の 2 タイプの抗がん剤事業に取り組むが、がん治療薬は第 III 相臨床試験まで進んでも承認は 5 割程度といわれる。このような意味では、今回の遺伝子治療薬 VB-111 はリスクヘッジ策として有効で、できるだけ多くビジネスチャンスを張り巡らせておくことで、早期収益化の確率が高まる。

(2) 周辺ヘルスケア領域

ミセル化ナノ粒子を応用した化粧品・皮膚科領域では、2013 年より（株）アルビオン（コーセー<4922>の子会社）と高級化粧品の共同開発を行い、販売している。化粧品・皮膚科（医薬品部外品）は、ミセル化ナノ粒子技術の皮膚浸透性と徐放性の特質を生かせる分野であり、技術の連続性がある。なお、アルビオンとは独占契約でないため、他化粧品メーカーにも材料販売や共同研究を進めている。共同開発による美容液 eclafutur は使い心地が良いと好調であることから、2019 年 10 月にリニューアル商品（eclafutur d）をアルビオンから発売している。アルビオンでの eclafutur 売上高は年商 60 億円となるヒット商品となっている。同社ではアルビオン向けに eclafutur やエクシア AL イマキュレート IDD 用の材料供給を実施している。また共同開発したスカルプTOTALケア製品「Depth」の販売も実施しており、化粧品関連の売り上げは数億円規模で推移している。そのほか、経営理念である、人々の健康と幸福に貢献することを目指し、がん領域以外のパイプラインも導入している。セオリアファーマ（株）より耳鼻咽喉科領域（中耳炎）、（株）エイオンインターナショナルより再生医療領域（不妊治療）を導入、新規領域へ参入している。これらの品目は、抗がん剤開発と比べて、収益化が早いことが見込まれており、主力開発品の実用化までの期間の経営基盤の強化が期待される。

(3) 次世代プラットフォーム技術の開発と事業開発

同社では iCONM ラボ（川崎市）にて脳内デリバリーの基礎研究を推進している。さらに、2017 年 10 月より JCR ファーマ<4552>と核酸等の脳内デリバリー創薬に関する共同研究を推進している。

会社概要

新技術開発として代表的なものが次世代型ミセル化ナノ粒子「ADCM (Antibody/Drug-Conjugated Micelle)」である。第一三共<4568>が再発・進行性の固形がん患者を対象としたDS-7300 (B7-H3を標的とした抗体薬物複合体 (以下「ADC」)を開発しているが、同社ではADCのミセル版を研究中だ。ADCは抗体に薬物が4つ程度しか付かないが、ミセル化すれば大量 (抗体1個当たりでは100個以上) に薬物を封入することができ、様々な病変細胞を標的とすることが可能となり、効率化を図れるとするものだ。ADCMの特徴は、抗体がセンサーの役割を担っており、抗体がダイレクトにがん細胞部位に向かっていくことで、薬物を標的とする細胞に大量にデリバリーできることである。ADCMは、センサーと薬物の組み合わせによる製剤の最適化を実施中である。

プラットフォーム技術でオーファンドラッグ (がん治療薬) などの新薬を開発

3. 特徴と強み

(1) 特徴

a) 自社プラットフォーム技術を応用して新規抗がん剤を創製

同社は、自社プラットフォーム技術で創薬を目指す数少ない国内バイオベンチャー企業で、まずは既存の抗がん剤をミセル化ナノ粒子に封入、より副作用を少なくして効用を高めることで創薬の裾野拡大に貢献している。

b) DDSの豊富な経験・知識とがん領域から次世代医薬品 (抗体、核酸など) まで幅広い技術資産を保有

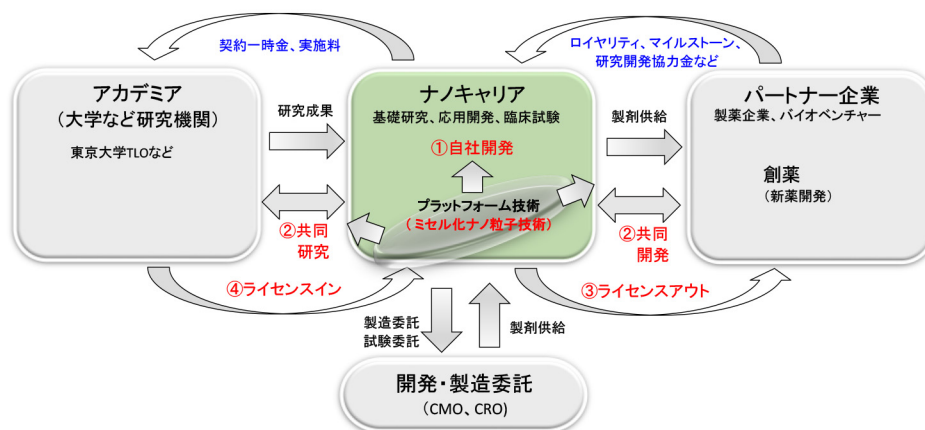
同社はこれまで数多くの臨床試験に取り組んできた。抗がん剤開発の領域においては、臨床試験の失敗がそのまま製剤の価値を失うことにはつながらないのが特徴である。諦めずに“手を変え、品を変えて”取り組むことで、実用化をつかみ取る。「多くの疾患にチャレンジすることで実用化の確度を高めることができる。トライしてみて初めてわかることもある。試験結果を考察し、対象患者群を絞り込むことで確度を高めることができる。結果をよく見ることで、技術や開発品が派生し進化することもある。また、がん治療薬の環境は常に変化しており、それに対応するために、新しいことにチャレンジすることも大切である」と社内メンバーの方は力説している。結果として、同社ではDDSの豊富な臨床経験・知識と、がん領域から次世代医薬品 (抗体、核酸) まで幅広い技術資産が蓄積されてきた。そのバックグラウンドから、同社の抗がん剤など革新的治療薬が世の中に出ることを期待してやまない。

(2) ビジネスモデル

同社は、ミセル化ナノ粒子技術をプラットフォーム技術とする。これを新薬開発に応用することで、パートナー企業の新規医薬品の可能性を高め、創薬・開発を支援している。また同社は、4つのビジネスモデル1) 自社開発、2) 共同研究開発、3) ライセンスアウト、4) ライセンスインで事業を推進している。

会社概要

同社のビジネスモデル



出所：会社資料よりフィスコ作成

(3) アライアンス

同社は創業後約 20 年間の研究開発において、国内製薬企業（中外製薬 <4519>、エーザイ <4523>、日本化薬、興和（株）など）、材料メーカー（信越化学工業、日油など）、ヘルスケアベンチャー（セオリアファーマ、アルピオン、エイオンインターナショナル、JCR ファーマ、アキュルナ（株）など）、海外製薬企業（VBL（イスラエル）、OEP（台湾）など）、アカデミア（東京大学 TLO など）など、これまでに 20 以上の研究開発機関と共同研究・共同開発、ライセンスアウト、ライセンスインを実施してきた。

開発パイプラインの動向

開発パイプラインの動向

	品 目	対象疾患	開発ステージ					進捗状況
			研究	P I	P II	P III	販売	
自社技術	NC-6004 シスプラチンミセル	肺癌						・ OEPと共同でアジア/日本第 III 相臨床試験実施中（患者登録完了） ・ 本試験による国内の承認申請はしない（2019年12月27日発表） ⇒ 肺癌の標準療法が変化（ゲムシタビンが第1選択薬でない）
		頭頸部がん						・ 2019年7月米国第 II 相臨床試験（キイトルーダ併用）投与を開始 ・ 2020年3月期第1四半期に P II a（用量決定）、その後 P II b（2群比較）を2年程度を予定
	NC-6300 エビルピシンミセル	軟部肉腫 （血管肉腫）						・ 現在、米国第 I b/ II 相臨床試験を実施中 ・ 2019年10月血管肉腫を対象に拡大臨床試験スタート ・ 2020年3月期第3四半期頃結果発表の見通し
	NK-105 バクリタキセルミセル	乳がん						・ 日本化薬にライセンスアウト済み ・ 国内第 II 相臨床試験実施中（日本化薬発表）
	化粧品 皮膚科	美容液 薄毛・抜け毛						・ 美容液「eclafutur」などアルビオン向け原料供給 ・ 育毛ケア「Depth」のECコマース販売強化と美容室200店舗へ拡大中 ・ 技術紹介中
導入技術	VB-111 遺伝子治療薬	卵巣がん						・ VBLが米国第 III 相臨床試験実施中 ・ 2020年3月期第4四半期に中間解析予定
		r GBM						・ 2019年11月医師主導による IND 申請が承認、第 II 相再実施へ ・ 免疫チェックポイント阻害剤併用試験を準備中
	ENT103 耳鼻咽喉科領域	中耳炎						・ セオリアファーマと共同で国内第 III 相臨床試験実施中 ・ 2019年5月患者投与スタート
	Aeon Acti-PRP 再生医療領域	難治性不妊						・ 2019年4月 Aeon Acti-PRP（血球細胞分離機）の国内販売権取得 ・ 産婦人科 PRP 研究会会員施設への販売と臨床研究サポート中
次世代	センサー結合型ミセル型 ADCM			基礎研究段階				・ 数年前から基礎研究として取り組み ・ 技術紹介中
	【事業開発】 次世代パイプラインの進化 ⇒ 新規センサー開発の共同研究			センサー分子を最適化				LUMOSA Therapeutics（台湾）と共同研究
				脳内デリバリー創薬				JCRファーマとの共同研究2017年10月からスタート
				新規センサー分子探索				2018年4月よりジーンテクノサイエンスと共同研究

出所：会社資料よりフィスコ作成

1. 自社技術のパイプライン

(1) シスプラチンミセル（NC-6004）

抗がん剤開発市場はオプジーボなどの免疫チェックポイント阻害剤が出現して、抗がん剤開発の環境がここ数年でドラスティックに変化している。同社でも NC-6004 の新しい併用療法として「キイトルーダ」との併用による、頭頸部がんを対象とした欧米での第 II 相試験に取り組んでおり、試験終了後には、製薬企業へライセンスアウトする予定である。NC-6004 に封入されたシスプラチンは、免疫チェックポイント阻害剤との併用によるがん治療効果への相乗効果が認められるとの報告が多数あり、シスプラチンの強い副作用を軽減する NC-6004 の強みを活かした治療法の開発が期待できるとしている。これまでの臨床試験において、疲労、悪心 / 嘔吐、呼吸困難などの身体症状に改善が認められ、副作用については、既存のシスプラチンに類似しており、発生頻度や重症度は改善され、シスプラチンで臨床的に問題となる聴覚障害は一例も認められず、末しょう神経障害については発現率は低く、軽度であることが報告されている。

開発パイプラインの動向

尚、第 3 相臨床試験として膵がんを対象としたゲムシタビンとの併用療法について開発を進めてきたが、上記がん治療環境の急激な変化に伴い、2020 年上半年を予定している本試験の解析結果をもとに、膵がん領域における追加試験を検討することとし、本試験結果のみでの国内承認申請はしないことを発表している。

(2) エピルピシンミセル (NC-6300)

軟部肉腫を対象とした第 I/II 相試験を実施しており、中でも血管肉腫にターゲットを絞り、拡大試験を実施中である。本試験の結果が 2020 年 3 月期第 3 四半期ごろに見込まれている。FDA より軟部肉腫を対象としたオーファンドラック指定を受けており、結果を基に早い承認取得を目指した開発戦略を検討するとしている。本剤は、希少がんをターゲットとすることで、開発コストの削減をしながら、標準薬がない領域において早期の承認取得を目指し、ミセル製剤の医薬品としての実証を急ぐ。

NC-6300 は pH 応答性機能を付加することで、さらなる副作用の軽減と効果の増強が図れると期待されている。これまでに行われた NC-6300 の日本および米国での第 I 相臨床試験においては、内包する既存薬であるエピルピシンの臨床用量をはるかに超える高投与量領域においても忍容性が認められ、さらには、エピルピシン特有の心機能障害の発生が抑えられ、長期投与が可能になっていることも報告されている。

イスラエルの VBL 社より国内の開発・商業権を取得している。 米国で実施中の試験進捗に応じ、国内開発を進める予定

2. 導入パイプライン

(1) 遺伝子治療薬 (VB-111)

a) プラチナ抵抗性卵巣がん

プラチナ抵抗性卵巣がんの第 III 相試験が米国を中心に進捗中である。中間解析が 2020 年 3 月期第 4 四半期に実施される見込みだ。2023 年に全症例を終え、FDA 承認申請となる予定である。卵巣がんのうち特殊な患者（プラチナ抵抗性）が対象となり、アンメットニーズである。中間解析を踏まえ、進捗に応じて国内臨床試験を開始する予定。既に、国内開発のためのカルタヘナ法第一種使用規程の承認を取得済みで、遺伝子治療薬の治験を国内で開始する態勢が整っている。

b) 悪性神経嚢腫 (rGBM)

2018 年 3 月に第 III 相臨床試験で評価項目未達となったが、ハーバード大学などの治験責任医師らにより再度第 II 相試験（医師指導）にトライする。rGBM を対象とした第 II 相試験の成績は良かったものの、第 III 相試験では評価項目未達となった。この臨床試験間の異なる条件としては、投与タイミングの違いが挙げられる。両試験において、VB-111 とアバスタチンを併用しているが、第 II 相試験においては、VB-111 単独投与後にアバスタチンを併用投与しているが、FDA との相談により第 III 相試験では同時併用投与で実施した。このようなタイミングの違いがあり、この仮説を検証することで rGBM の治療の可能性を訴求することができると考え、医師主導治験を開始する。第 II 相及び第 III 相試験の結果をよく考察することで、より良い治療法が見いだせると期待している。

開発パイプラインの動向

(2) 中耳炎 (ENT103)

セオリアファーマとの共同開発品である。日本市場において 20 年ぶりとなる新規耳科用抗菌点耳薬であり、抗菌活性物質濃度が従来品の 10 倍程度あることから高い有効性が期待されている。国内において中耳炎を対象とした第Ⅲ相臨床試験を実施しており、2019 年 5 月に登録を開始。本剤は抗がん剤の開発と比べ短期間で製造販売承認を取得することが期待できるとしている。

(3) PRP 療法 (不妊治療領域)

2019 年 4 月、エイオンインターナショナルから「Acti-PRP (血球細胞分離機)」の国内販売権を取得。多血小板血漿 (PRP) は細胞の成長を促す豊富な成長因子を含み、局所に注入することで組織の修復などを促す。PRP を用いた治療は整形外科領域などで行われているが、婦人科領域における不妊治療への応用として導入。これまでに実施された臨床研究では、3 回以上不妊治療を繰り返しても妊娠しなかった難治性の不妊患者の 15% で着床が認められている。同社は、臨床研究のサポートを行い、産婦人科 PRP 研究会の会員施設に対し「Acti-PRP」を販売している。患者の QOL 向上という当社理念に基づき、再生医療分野へも進出し、国内初の新規事業として展開。

3. 次世代パイプライン候補について

前述の臨床開発段階または臨床試験計画中の主要パイプラインに続く次世代のパイプライン候補として、ADCM はアクティブターゲッティングを可能とする次世代型プラットフォーム技術で、世界的に開発が活発化している抗体医薬 ADC (Antibody Drug Conjugate : 抗体薬物混合体) の課題を補う次世代 DDS 技術である。標的細胞を狙ったターゲッティング療法である ADCM は、がん細胞に現れる特異的な抗原を認識するミセル化ナノ粒子表面に結合し、標的細胞への選択性を高めることができる。抗体と薬物が結合した従来のミサイル療法より多くの薬物を標的細胞に届けることができるため、高い効果と副作用の軽減が期待されている。

業績動向

転換社債のリファイナンスと新株予約権による資金調達

1. 2020 年 3 月期第 2 四半期業績の概要

売上高は、開発マイルストーン収入、化粧品関連売上及び PRP 事業にかかる医療機器売上等により 293 百万円となった。また、臨床開発が完了したことで研究開発費が減少し、営業損失は 683 百万円となった。同社が保有していた Tocagen 株の投資有価証券評価損 255 百万円が特別損失として計上されたことで営業損失は改善したが、四半期純損失はほぼ期初予算どおりであった。

ナノキャリア | 2020 年 2 月 3 日 (月)
4571 東証マザーズ | <http://www.nanocarrier.co.jp/ir/index.html>

業績動向

2020 年 3 月期第 2 四半期業績

(単位：百万円)

	19/3 期 2Q 累計	20/3 期 2Q 累計	増減額
売上高	217	293	75
売上原価、販管費及び一般管理費	1,146	977	-168
研究開発費	879	694	-184
営業損失	-928	-683	244
営業外収益 / (費用) ネット	17	-49	-67
経常損失	-911	-733	177
四半期純損失	-909	-896	13

出所：決算短信よりフィスコ作成

2. 2020 年 3 月期の業績見通し

2020 年 3 月期の売上高は、開発マイルストーン収入、化粧品原料供給収入、化粧品売上、PRP 事業にかかる医療機器売上等により 581 百万円（前期比 17.0% 増）、営業損失 1,520 百万円（前期は 1,802 百万円の損失）、経常損失 1,536 百万円（同 1,774 百万円の損失）、当期純損失 1,450 百万円（同 1,808 百万円の損失）とする期初計画を据え置いた。また、研究開発費は 1,300 百万円（前期比 493 百万円減少）を見込んでいる。

2020 年 3 月期業績見通し

(単位：百万円)

	17/3 期 実績	18/3 期 実績	19/3 期 実績	20/3 期	
				計画	増減額
売上高	218	259	496	581	84
売上原価、販管費及び一般管理費	2,930	5,610	2,299	2,101	-198
研究開発費	2,252	4,979	1,793	1,300	-493
営業損失	-2,712	-5,351	-1,802	-1,520	282
経常損失	-2,619	-5,304	-1,774	-1,536	238
当期純損失	-2,676	-5,416	-1,808	-1,450	358

出所：決算短信よりフィスコ作成

3. 財務状況と新株予約権発行などについて

2020 年 3 月期第 2 四半期の財務状況を見ると、流動的資産は前期末比 1,497 百万円増加の 8,064 百万円となった。資産は前期末比 1,013 百万円増加の 9,581 百万円となった。そして、リファイナンス及びその後の転換社債型新株予約権付社債の転換により、負債は前期末比 2,529 百万円減の 159 百万円となった。四半期純損失の計上並びに第三者割当増資、新株予約権の行使及び転換社債型新株予約権付社債の転換による株式の発行等により、純資産は前期末比 3,542 百万円増の 9,422 百万円となった。

■ 今後の取り組み

新経営体制のもと、新規開発テーマや共同開発の仕込みが進捗

1. 新規開発テーマや共同開発の仕込み

2019 年 11 月 14 日に経営トップの交代が発表された。創業社長の中富一郎氏に代わり、松山哲人（まつやま てつひと）氏が代表取締役社長 CEO に昇任した。

その中で、次世代技術開発や新規医薬品の開発テーマ発掘などの研究開発については、開発投資、アライアンス（共同開発、ライセンスインなど）など思い切った強化策が図られようとしている。2020 年には、有望な新規開発テーマや共同開発、あるいは M&A などの発表が待たれる。

2. 「サイエンティフィック・アドバイザリーボード」の創設

社外専門家からの専門的な意見や提言を、更なる研究開発の推進及び事業運営に生かすことを目的に、「サイエンティフィック・アドバイザリーボード」を創設（2019 年 12 月 16 日付）した。これまで「サイエンティフィック・アドバイザー」の立場ではあったが、経営層以外の社内メンバーは社外専門家と直接ディスカッションできる機会は少なかったため、社内メンバーとの定期的な会合の機会を増やし、最先端の研究を取り込む場とすることにした。

最先端の研究成果を同社の研究開発に生かすことにより、効率的でより高い研究開発成果を得ること、さらに、社外専門家の幅広いネットワークを利用した他企業とのアライアンスなどにも期待している。サイエンティフィック・アドバイザリーボード委員長には、同社技術の発明者である片岡一則（かたおかかずのり）氏が就任、ボードメンバーは同社社外取締役で構成する。月 1 回程度、定期的なサイエンティフィック・アドバイザリー会議への出席や実際に研究開発を行うメンバーとのディスカッション等を実施し、同社取締役会に対し提言を求め、同社の事業運営に反映するとしている。

免責事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。

本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したものです。フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは強く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-11-9

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（情報配信部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp