

# 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 >>>](#)

2021年7月13日(火)

執筆：客員アナリスト

**清水啓司**

FISCO Ltd. Analyst **Keiji Shimizu**



FISCO Ltd.

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

## 目次

■ 要約	01
1. 「後期臨床開発 3 製品」に重点特化	01
2. 新しいモダリティ技術の取り込みで核酸創薬領域のパイプラインを拡充	01
3. M&A や提携の積極的推進	02
4. SDGs への全社的取り組みとサステナビリティ社会への貢献	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業概要	04
3. 特徴と強み	04
■ 開発パイプラインの動向	06
1. パイプラインの再構築	06
2. 後期臨床開発 3 製品	06
3. 核酸医薬	08
4. その他開発品	08
5. 販売品	09
■ 最近の提携動向	09
■ 業績動向	10
1. 2021年3月期の業績概要	10
2. 2022年3月期の業績見通し	10
3. 財務状況と新株予約権発行などについて	10
■ 今後の取り組み	11
1. M&A や提携の積極的推進	11
2. SDGs への全社的取り組みとサステナビリティ社会への貢献	11

## 要約

### アキュルナと経営統合、「優れた経営力」と最先端の「核酸創薬力」を相互補完・融合することで事業シナジーを発揮

ナノキャリア<4571>は、1996年にミセル化ナノ粒子発明者ら2名とともに設立されたバイオベンチャーである。社名はナノ粒子技術（ミセル化ナノ粒子技術）とキャリア（薬物の運び屋）の造語である。日本では自社のプラットフォーム技術（DDS※）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。

※ 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。

アキュルナ（株）は、同社と同一の技術バックボーン（ミセル化ナノ粒子技術をベースに DDS などの応用開発）を持つ核酸創薬ベンチャーである。同社は、アキュルナの2015年設立時の出資者で、同社の特許技術を一部ライセンス供与している”兄弟会社”であるが、2020年9月にアキュルナを吸収合併した。アキュルナは核酸創薬領域の知見・技術が豊富であることに対し、同社は治験、薬事および医薬品製造（GMP 管理含む）を得意としており、経営統合することによって創薬ベンチャーとしての新しいモダリティに対して研究開発から治験（臨床研究・臨床試験）、製造・品質管理まで一貫したビジネスシステムが確立できる。また、卓越した経営手腕を発揮する松山哲人（まつやまつひと）CEOと抗がん剤開発/核酸創薬領域の国内有数のエキスパートである秋永士朗（あきながしろう）研究開発本部部長の2名による経営体制は、大いに期待が持てる。

#### 1. 「後期臨床開発3製品」に重点特化

同社のパイプラインは数年前と比較すると様変わりしている。臨床試験第III相段階のVB-111（卵巣がん）とENT103（中耳炎）、同第II相段階のNC-6004（頭頸部がん）の後期臨床開発3製品に重点特化し、これらはいずれもパートナーとの共同開発であることが特徴である。つまり、自前技術や自社開発に拘らず、共同開発や外部技術導入にも積極的に取り組み、スピード重視の開発に大きく舵を切ったと言える。後期臨床開発3製品はライセンスアウトや承認申請の加速により、2024年3月期までに収益化を目指す考えである。

#### 2. 新しいモダリティ技術の取り込みで核酸医薬領域のパイプラインを拡充

同社には、核酸医薬に関する問い合わせや相談が急増しているようだ。核酸医薬領域（2030年世界市場規模予測2.1兆円）は、低分子医薬品、抗体医薬品に続く第3の医薬品と言われており、従来の医薬品では治療が難しかった疾患を対象とした治療薬開発の可能性を秘めた、次代の医療を支える医薬品として注目が集まっている。また、国内ではワクチンで注目された mRNA 医薬品について研究している企業がほとんどなく、同社の核酸医薬開発は先行していたことから国内の創薬メーカーやアカデミアの研究開発と比較しても格段の知識と情報量を保有していることが要因であると考えられる。核酸医薬のパイプラインとしては、「NC-6100 siRNA（乳がん）」「RUNX1 mRNA（変形膝関節症）」「TUG1 ASO（膠芽腫）」の3製品がラインナップされているが、核酸医薬が主力製品になる5～10年後に向けて有望製品開発に期待がかかる。短期的には既存パイプラインの後期臨床開発3製品に重点特化するが、中長期的には研究開発リソースを核酸医薬へシフトする事業ポートフォリオを再構築し、早期収益化と次世代製品（核酸医薬）の育成を両立させた成長戦略と言える。

要約

### 3. M&A や提携の積極的推進

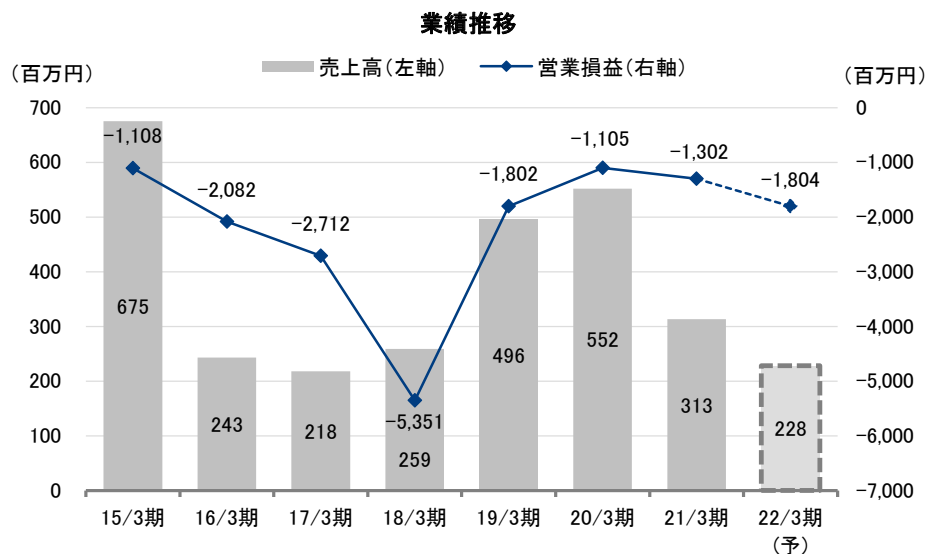
同社が初期段階でライセンスアウトしたNK-105（日本化薬<4272>）の第III相臨床試験において結果的に承認が得られず、ステークホルダーからの期待を損なった。背景には、バイオベンチャーにありがちなリスクの高い一本足打法的なパイプラインと捉えられることになり、万が一主力開発品が失敗した時の対策が十分でないとされたことにある。しかしながら、同社は、数年前より集中リスクを回避する目的で成長戦略を変更し、複数の有望開発品から構成される「集中と分散」型パイプラインに改めている。そのために、積極的に外部技術の導入やM&A（“開発時間を買う”）を推進している。また、パイプラインが次ステージになかなか移行できない上場バイオベンチャーであっても、中に隠れている素性の良い技術や優れた人材を保有しているケースがある。上場バイオベンチャーは、一つひとつは小粒でも、相互補完・融合すれば大手・中堅創薬メーカーに対抗できる技術集団を形成し、新たな価値創出と成長・発展するポテンシャルを有すると松山 CEO は考えており、“バイオベンチャー連合”構想の一端が伺える。

### 4. SDGs への全社的取り組みとサステナビリティ社会への貢献

同社では、従来のメッセージ「ナノテクで新しい医薬品を提供します」から、新たなメッセージとして「新たな価値を創造し、人々の健康と幸福に貢献します」を掲げている。同社は現在、SDGs（持続可能な開発目標）企業活動や社会貢献に全社一丸となり取り組んでいる。SDGsの17目標について、「社会貢献」「人材育成」「環境保全」の切り口で整理・定義し、社内浸透を図っている。実際に、同社の開発品には卵巣がん治療薬（VB-111）や乳がん治療薬（NC-6100）、難治性不妊治療（PRP療法）などがラインナップされており、治療薬を探す患者へ新たな治療法や治療薬を提供する社会的意義がある。

#### Key Points

- ・「後期臨床開発3製品」に重点特化
- ・新しいモダリティ技術で核酸創薬領域のパイプラインを拡充
- ・事業ポートフォリオを再構築し、早期収益化と次世代製品（核酸医薬）育成を両立する成長戦略
- ・M&A や提携を積極的推進
- ・SDGs への全社的取り組みとサステナビリティ社会への貢献



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）名誉教授、東京女子医科大学 岡野光夫（おかのてるお）名誉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年に設立されたベンチャー企業である。片岡氏および岡野氏が研究活動をしていたアメリカのユタ州では DDS が盛んに研究されており、発明した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に新会社が設立された。2000年に研究所を設置し、本格的に実用化に向けた研究活動が開始された。

同社は東大 TLO からミセル化ナノ粒子の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、日本化薬とのバ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月東京証券取引所マザーズ市場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約6億円と非常に低い水準となり、それまで行っていた欧州での NC-6004 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）とアジア地域における NC-6004 ライセンス契約（共同開発および投資による資金調達など）を締結することにより、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）からの資金調達及び信越化学工業 <4063> から第三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、パイプラインの開発を飛躍的に自社で推進することに成功している。当時、米国型の自社プラットフォーム技術で創薬を行う数少ない日本企業として、パイプラインの開発戦略や創薬の裾野の広がり方が海外の機関投資家に訴求しやすかったと言える。また、2012年に iPS 細胞の研究により京都大学の山中伸弥教授がノーベル賞を受賞したことで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。

このころから、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り、自社開発として欧米での臨床開発もスタートした。また、2015年に松山社長が当時 CFO として同社に参加したころから、併行して M&A や提携を進める方針を強化し、グローバルで最先端と言われるパイプラインの導入なども進められた。2017年11月にイスラエルの Vascular Biogenics Ltd.（以下、VBL）からライセンスインした遺伝子治療薬は、国際第 III 相臨床試験段階（プラチナ抵抗性卵巣がん）にある。既に 75%の患者登録が米国などの海外で完了している試験に日本が途中から参画できることになり、開発期間の大幅な短縮（通常 10年以上が数年程度にまで短縮）とともに、開発コスト（通常数百億が十数億程度）が削減できるなど、早期収益化に貢献する製品として導入している。また、不妊治療や耳鼻科領域における製品の導入も進め、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画期的な製品導入も推進している。

## 会社概要

## 2. 事業概要

抗がん剤の開発を中心にパイプラインの拡充などを進めていたが、同社とアキュルナとが経営統合し、技術、パイプラインなどを相互に補完・融合することにより、格段に製品開発力が強化され、事業領域も次世代医薬品の中核となる核酸医薬領域へと広がりを見せている。

### (1) 製品の承認取得とライセンスアウトの加速による早期収益化

同社は、後期臨床ステージにあるパイプライン3製品（VB-111/ 卵巣がん、ENT103/ 中耳炎、NC-6004/ 頭頸部がん）に重点特化している。海外で開発が進む遺伝子治療製品 VB-111 は、プラチナ抵抗性卵巣がん対象で、有効な治療法がない患者に対し新たな治療法を提供するものであり社会的な意義が高い治療薬である。中耳炎対象の ENT103 は耳鼻科領域では四半世紀ぶりの本格的な国内治験による新しい治療薬として期待されている。NC-6004 は、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）とのコンビネーションで開発を進めており、ICI との併用薬は製薬企業が高い関心をもつ領域であることから、結果が出次第、ライセンスアウトを進める。VB-111、ENT103 の承認取得 / 販売及び NC-6004 のライセンスという形で、2024年3月期までに収益化を目指す考えである。

### (2) 新しいモダリティ技術でパイプラインを拡充

中長期には、自社技術を核とし、核酸医薬のような次世代モダリティ（治療手段）などグローバルで見ても最先端となる治療薬を創製し、新たな収益の柱に成長させていく。その一環として、2020年にメッセンジャー RNA（mRNA）医薬などの核酸医薬を手掛けるアキュルナを吸収合併した。mRNA 医薬は新型コロナワクチンとして世界的に大きな注目を集めた新しい創薬技術である。アキュルナの核酸医薬の創薬力や RNA 専門の優秀な人材と同社の臨床開発力を融合し、相互の強みをもとに核酸医薬を第2の柱に育てる。

### (3) M&A や提携を積極的に推進し、収益化に向けて新しい発想で医薬品市場を切り開く

M&A や提携は、今後もパイプラインと技術基盤の拡充を目的に積極的に進める方針である。VB-111 のように後期ステージにあり、市場規模的に大手製薬会社が手をつけにくい最先端技術製品を発掘し、パイプラインとして組み入れる。また、組織再生を促進する医療の開発パートナーであるアクセリド（株）の傘下にある革新的な技術をもつ企業などとの協業やその幅広いネットワークの活用、大手製薬会社との共同研究開発など、オープンイノベーションにより多様な革新的技術を取り込むことで、創薬事業の推進と拡大を進めていく。

## 3. 特徴と強み

### (1) 特徴と強み

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、既存の抗がん剤をミセル化ナノ粒子に封入し、患部に直接届けることで、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。また、当該技術は不安定な物質の安定化にも寄与し、核酸などの新しいモダリティの開発にも貢献する。

同社はこれまで数多くの臨床試験（治験）に取り組んできており、後期ステージの開発も複数実施するなど、結果として、大量生産における品質管理などが厳格に管理される治験薬製造も含めた臨床開発に関連する豊富な経験・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いる。

## 会社概要

抗がん剤市場は、全世界で2020年に約144億米ドルを売上げた免疫チェックポイント阻害薬キートルーダなど近年画期的な新薬が上市されるなどにより世界的に拡大を続けている。同社は、世界のがん治療トレンドに合わせてフレキシブルに開発戦略を修正し、同社開発品において、がん治療の中心となったキートルーダの併用薬として製剤価値を付加することで、製薬企業の関心を高めるなど、抗がん剤市場の先を見通し、開発を推進していることが強みとしてあげられる。また、同社は、開発を主体としており、抗がん剤領域の開発に関するエキスパートが集合していることから、VB-111のように、海外製品の導入において、市場性や革新性などを自社で評価できることも強みである。

また、核酸医薬については、これまでになかった市場を切り開くもので、2030年には市場性は2.1兆円規模になるとの予測もあり、国内でトップを走っていた核酸創薬に特化したアキュルナを取り込んだことは、mRNAなどの核酸領域のこれまでの地道な研究実績の蓄積が今後確実に強みとして生きてくると考えられる。

### (2) ビジネスモデル

自社創製製品及び導入製品（ライセンスイン）などにおいて、臨床開発を行い、自社販売することによる収入の確保、並びに開発の途中ステージで他社へライセンスアウトすることによる契約一時金、マイルストーン及びロイヤリティ収入の確保を見込んでいる。

#### a) ライセンスイン

他社が保有する有望な医薬品候補を導入し、同社が開発・販売することで販売収入を計上。ただし、ライセンス元に対して契約一時金、マイルストーン、販売高に対するロイヤリティや製剤供給費用を同社が支払う。ライセンスインについては、開発後期段階の有望な医薬品候補を導入するため一定の費用が発生するが、初期段階から開発を行うよりも短期間で上市が期待できる。

#### b) ライセンスアウト

自社で研究開発中の医薬品候補を導出し、契約時点までの知的財産権を含む研究開発成果及び開発・販売・製造権の実施許諾に対する契約一時金、並びに所定の開発段階に到達したときに支払われるマイルストーン収入及び医薬品上市後の販売高に対するロイヤリティ収入等を見込む。ライセンス契約による提携は、同社が保有する特許権及びノウハウについての実施許諾、さらに同社が独占的な実施権を有する特許権の再実施許諾がベースになる。ライセンス契約後の研究開発等の経費は提携先が負担することになり、同社の開発コスト及び開発リスクが軽減される。

## 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				開発地域	パートナー
		非臨床	ph1	ph2	ph3		
VB-111	卵巣がん					日米欧 イスラエル	共同開発（導入） VBL
※パクリタキセルとの併用治療（遺伝子治療製品）							
ENT103	中耳炎					日本	共同開発 セオリアファーマ
※抗菌薬（耳鼻科領域）							
NC-6004 シスプラチンミセル	頭頸部がん					欧州 台湾	共同開発（導出） OEP
※ Pembrolizumab（キイトルーダ）との併用治療							
NC-6300 エビルピシンミセル	軟部肉腫					米国	
※血管肉腫を対象を絞り、第Ⅰ相 part expansion cohort（例数追加試験）を実施中							
NC-6100 PRDM14(siRNA)	乳がん					日本	医師主導治験 （公財）がん研究会有明病院
※旧アキュルナ株式会社創製品							
TUG1 (ASO)	膠芽腫					日本	共同開発 名古屋大学
※旧アキュルナ株式会社創製品							
RUNX1 (mRNA)	変形性膝関節症					日本	PrimRNA アクセリード
※旧アキュルナ株式会社創製品							

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

### 1. パイプラインの再構築

M&A や提携の推進により、製品導入やアキュルナとの経営統合などもあり、同社のパイプラインは数年前と比較すると様変わりした。臨床試験第Ⅲ相段階の VB-111（卵巣がん）と ENT103（中耳炎）、同第Ⅱ相段階の NC-6004（頭頸部がん）の後期臨床開発 3 製品に重点特化し、早期収益化を目指している。また、革新的治療薬として期待される核酸医薬領域のパイプラインとして NC-6100 siRNA（乳がん）、RUNX1 mRNA（変形性膝関節症）、TUG1 ASO（膠芽腫）の 3 製品がラインナップされている。

### 2. 後期臨床開発 3 製品

#### (1) 遺伝子治療薬（VB-111/ 卵巣がん）の開発状況と進捗

VBL（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。



#### 開発パイプラインの動向

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る製品であれば、成功確率やその後の開発費用などを鑑みると、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、遺伝子治療薬分野であり、ウイルス製剤ではあるが腫瘍へのデリバリーということでは、事業特性は類似しており、臨床開発のエキスパートを抱える同社において国内での開発を自社で担当することは可能であった。また、遺伝子治療薬 VB-111 は、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の応用拡大が見込め、米国では、大腸がんや脳腫瘍を対象とした治験が VBL により実施されている。

「VB-111」を開発する VBL が 2021 年 6 月に開催された米国臨床腫瘍学会 (ASCO) で「承認申請が 1 年早まる可能性がある」と発表している。これらのことから、臨床試験が大きく前進すると予想できる。

また、同社が担当する国内の開発においては、がん治療の有力医療機関 12 施設 (国立がん研究センター、がん研究会有明病院など) で第 III 相臨床試験の患者リクルートを開始しており、2021 年 6 月に最初の患者投与が開始された。

VB-111 は、「プラチナ抵抗性卵巣がん」が対象で、第一選択薬であるプラチナ製剤が効かなくなり、治療法がないと言われる患者さんにとって新たな治療法を提供できる社会的意義のある治療薬である。現時点では、競合する治療薬はなく、がん治療の医師から“ハイリー・アンメットメディカルニーズ”と言われている。海外ではアメリカ、イスラエルで先行しており欧州が追加され、また国内も第 III 相臨床試験に途中から参画できるようになった。世界で 400 症例計画の中、既に約 300 例が登録済みであり、国内はうち 30 例を予定している。患者登録は 2022 年 3 月末までに登録完了を見込む。その後最後の患者を含めた観察期間を経て、全症例のデータ収集となる。順調にいけば、1 年程度で PFS が取得でき、結果が良ければ承認申請に進む。販売は 2～3 年後 (2024 年頃) になると見込む。

#### (2) 耳科用抗菌薬 (ENT103/ 中耳炎) の開発状況と進捗

セオリアファーマとの共同開発品である。日本市場において四半世紀ぶりとなる本格的な治験が実施された新規耳科用抗菌点耳薬であり、抗菌活性が従来品の 10 倍程度あることから高い有効性が期待され、既存薬の代替を目指す。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、2021 年 5 月に患者登録が完了している。2021 年度末までに申請を目指しており、2023 年頃には販売の見通しだ。重症中耳炎患者は老若男女全世代にわたっており、患者数としては比較的多く、早期の収益化に期待がかかる。

#### (3) シスプラチンミセル (NC-6004/ 頭頸部がん) の開発状況と進捗

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ドラスティックに変化した。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コンビネーションで、頭頸部がんを対象とした欧米での第 II 相臨床試験に取り組んでおり、試験終了後には製薬企業へのライセンスアウトを予定している。NC-6004 に封入されているシスプラチンは、免疫チェックポイント阻害剤との併用で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 の強みを生かした治療剤としての開発が期待できるとしている。第 II a 相試験において、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るなど、副作用については、既存のシスプラチンと比較して、発生頻度や重症度が改善されている。また、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、末梢神経障害については発現率が低く、軽度であったことが報告されている。第 II b 相試験は、2021 年度中に患者登録を完了予定で、124 例中半数以上は既に登録完了している。主に欧州で開発しており、2022 年度に見込まれる第 II b 相臨床試験の結果をベースにして、ライセンスアウトを計画している。

## 開発パイプラインの動向

### 3. 核酸医薬

核酸医薬は、これまでの抗がん剤や抗体医薬でターゲットとして選択できなかった細胞内の転写因子などを新たなターゲットとして選択できることから、新たな治療法として提供できる可能性を持つ。一方、核酸は非常に不安定な物質なため DDS が必要不可欠であり、同社技術の活用が期待される領域である。

NC-6100 (siRNA 医薬 / 乳がん) は、乳がん細胞が持つ DNA からの転写因子である PRDM14 の働きを抑制する siRNA 医薬で、がん幹細胞の成長を抑制することから、既存の抗がん剤や抗体医薬で効果がなかった乳がんの新たな治療薬として期待されている。がん研究会有明病院にて医師主導第 1 相臨床試験が 2020 年 9 月から始まっている。

TUG1 ASO 医薬 (膠芽腫) は、悪性脳腫瘍である膠芽腫により多く存在する TUG1 の働きを抑制する ASO 医薬である。膠芽腫は治療法がなく、新たな治療薬の提供が求められている領域である。本件は、国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学との共同研究プロジェクトで、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の「革新的がん医療実用化研究事業」に採択され、開発資金 (1 課題当たり年間上限 77 百万円) を得ている。2020 年 4 月から 3 年間で治験薬の製造法の確立と非臨床試験を完了させ、臨床試験につなげる計画だ。

mRNA 医薬は、感染症ワクチンを筆頭に、がんワクチン、局所再生医療、遺伝子欠損希少疾患 (遺伝子治療の代替)、ゲノム編集領域で世界的に脚光を浴びている注目技術である。そのなかで同社が強みとする技術であるミセル化ナノ粒子技術を応用してポリプレックスミセルを開発し、mRNA 医薬開発で優位性を確保しようとしている。なお、パンデミックの環境で一変した mRNA の知名度であるが、国内で mRNA 医薬の開発を進めている企業は、これまでほとんどなかったと言える状況であった。

同社が mRNA 医薬として開発を進めている RUNX1 mRNA 医薬 (膝軟骨再生) は、軟骨誘導性転写因子 RUNX 1 を発現する mRNA を、関節腔に直接投与し損傷した軟骨の再生を促進する変形性膝関節症の新しいタイプの治療薬である。医師主導第 1 相臨床試験完了までの開発資金を AMED から得て、アクセリードと本件開発のための合併会社 (株) PrimRNA (プライムルナ) を 2021 年 4 月に共同設立、事業を開始しており、4 年程度で第 1 相臨床試験完了を目指している。アクセリードとの協業は、傘下にある非臨床試験で世界的に実績のある企業との協業や治験薬製造委託先なども含め、本開発の大きな推進力となっている。

### 4. その他開発品

臨床開発段階にあるエピルピシンミセル (NC-6300) は、軟部肉腫を対象とした第 1/II 相臨床試験を実施しており、なかでも血管肉腫にターゲットを絞り、第 I 相パートの拡大試験を実施中である。血管肉腫の拡大試験の 10 症例は既に登録が完了している。アメリカ食品医薬品局 (FDA) より軟部肉腫を対象としたオーファンドラッグ指定を受けており、さらに、血管肉腫を対象としたファスト・トラック指定を受けている。拡大試験などの結果を基に早い承認取得を目指し FDA と今後も協議を進めるとともに、ライセンスアウトについても検討を開始している。

NC-6300 は pH 応答性機能を付加することで細胞内でのみ薬物を放出するよう設計されており、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 の日本及び米国での第 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。

## 5. 販売品

不妊治療に対する再生医療を国内で普及させるため、2019年4月、エイオンインターナショナル(台湾)から「Acti-PRP(血球細胞分離器)」の国内販売権を取得した。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、子宮内膜の環境改善を目的とした婦人科領域における不妊治療への応用として導入されている。不妊治療向けPRP療法は医療法人財団順和会山王病院(東京都港区)の堤治名誉病院長がPRP療法を推奨しており、不妊治療セミナーなどでも認知度が広がっている。これまでに山王病院を中心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研究会の全国の会員施設に対し「Acti-PRP」を販売している。患者のQOL向上という同社理念に基づき、再生医療分野へも進出し、国内初の新規事業として展開している。なお、会員施設の再生医療等委員会の申請等のサポートも完了し、現在はリソースをほとんどかけずに推進しており、同社は現在販売代理店の位置付けで売上を確保している。

自社技術の化粧品への応用を進めており、高級化粧品メーカーのアルピオンと美容液「エクラフチュール」やヘアケア製品「Depth」などを筆頭に、化粧品原料を供給、売上高に計上している。

これらによって、マザーズ上場維持に必要な年間1億円以上の売上を達成しており、本業の医薬品開発に集中できる環境を構築している。

## ■ 最近の提携動向

同社は、2021年4月にスタートアップ型企業のPrimRNAを設立した。新会社は、「mRNA医薬を用いた変形性関節症に対する革新的な機能維持治療法の開発」を目的としたスタートアップ型企業で、ウィズ・パートナーズ(ヘルスケア分野に強みを持つ中小型の上場ベンチャーへの成長投資を担う)の100%子会社であるアクセリードとの合併会社である。本パイプラインは、アキュルナの核酸医薬領域の研究によるものであり、AMEDの「医療研究開発革新基盤創成事業」に採択され、mRNAによる軟骨再生医薬の開発資金を得ることとなった。東京医科歯科大学生体材料工学研究所の位高啓史教授、東京大学医学部整形外科学の田中栄教授らとも連携し、医師主導による第1相臨床試験まで推進予定である。既に、興味を示す企業から問い合わせがあるようだ。

また、アクセリードとの協業も推進する。アクセリードは、武田薬品工業<4502>の創薬研究部門の一部事業を承継し、医薬品・医療機器の研究開発から製造にわたるバリューチェーンを構築・拡大しており、傘下に複数の企業を持つ総合的創薬ソリューションプロバイダーである。mRNA医薬を用いた変形性関節症については、早期からmRNAに特化した医薬品製造受託機関(CDMO)((株)ALCARIS(アクセリードの子会社))との協業などが想定できる。また、新たなモダリティ技術との融合など、様々な形で協業を検討している。

## ■ 業績動向

### アキュルナの吸収合併で発生したのれん 1,553 百万円を減損損失処理

#### 1. 2021年3月期の業績概要

2021年3月期の売上高は、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313百万円（前期比43.3%減）、営業損失は1,302百万円（前期は1,105百万円の損失）、経常損失は1,278百万円（同1,144百万円の損失）となった。また、アキュルナの吸収合併において発生したのれん1,553百万円を減損損失として計上したため、当期純損失は2,835百万円（同2,009百万円の損失）となった。

#### 2. 2022年3月期の業績見通し

2022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228百万円（前期比27.2%減）、営業損失1,804百万円（前期は1,302百万円の損失）、経常損失1,751百万円（同1,278百万円の損失）、当期純損失1,734百万円（同2,835百万円の損失）を見込んでいる。

#### 3. 財務状況と新株予約権発行などについて

2021年3月期の財務状況を見ると、資産は前期末比1,123百万円減少し、7,820百万円となった。負債は同145百万円増加し、320百万円となった。純資産は当期純損失の計上等により同1,268百万円減少し、7,499百万円となった。なお、2020年6月26日開催の第24回定時株主総会において、資本金の額の減少及び剰余金の処分について承認可決され、2020年8月1日付で効力が発生しており、資本金3,818百万円減少し、繰越利益剰余金が3,818百万円増加している。

また、ウィズ・パートナーズが業務執行組合員を務めるTHEケンコウFUTURE投資事業有限責任組合を割当予定先とする第三者割当の方法による第5回無担保転換社債型新株予約権付社債1,150百万円並びに第19回新株予約権2,992百万円の募集を行い、2021年5月10日付で割当を実施している。今回新たに4,200百万円（使途自由）と現在保有している6,000百万円合計約10,200百万円の資金となり、今後の核酸医薬領域の研究開発、M&A政策や次世代技術獲得に向けての原資となる。

## ■ 今後の取り組み

### 1. M&A や提携の積極的推進

同社では、パイプラインを一本足打法的な集中型から複数の後期開発品から構成される「集中と分散」型に改めている。このため積極的に外部技術の導入や M&A (“開発時間を買う”) を推進している。また、主要パイプラインが次ステージになかなか移行できない上場バイオベンチャーであっても、中に隠れている素性の良い技術や優れた人材を保有しているケースがある。上場バイオベンチャーは、一つひとつは小粒でも、相互補完・融合すれば大手・中堅創薬メーカーに対抗できる技術集団を形成し、新たな価値創出と成長・発展するポテンシャルを有すると同社の松山 CEO は考えており、“バイオベンチャー連合”構想の一端が伺える。

### 2. SDGs への全社的取り組みとサステナビリティ社会への貢献

同社では、従来のメッセージ「ナノテクで新しい医薬品を提供します」を改め、新たなメッセージとして「新たな価値を創造し、人々の健康と幸福に貢献します」を掲げている。同社は現在、SDGs 企業活動や社会貢献に全社一丸となり取り組んでいる。SDGs の 17 目標について、「社会貢献」「人材育成」「環境保全」の切り口で整理・定義し、CSR 情報発信と社内浸透を図っている。実際に、同社の開発品には卵巣がん治療薬 (VB-111) や乳がん治療薬 (NC-6100)、難治性不妊治療 (PRP 療法) などがラインナップされており、治療薬を探している患者へ新たな治療法や治療薬を提供する社会的意義がある。

経営陣も SDGs には関心が高く、会社の中長期的な取り組みとして推進する方針だ。SDGs 企業としてのメディアへの情報発信、さらに全社員を集めての SDGs 勉強会を催し、「SDGs」「ESG 投資」「女性活躍」などについて、社内浸透・共有化を図っている。バイオベンチャーでここまで SDGs 企業活動を積極的に行っている企業は珍しく、長期的視野を持った戦略型企業と言える。

#### 重要事項（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・表示したのですが、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、配布等することは堅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 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp