

# 2019年12月期 第2四半期決算説明資料

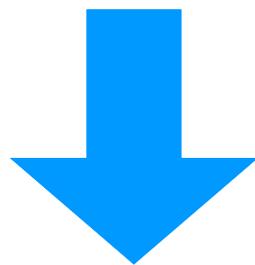
カルナバイオサイエンス株式会社



証券コード : 4572

## 21世紀に残されたアンメットメディカルニーズに対応する画期的な新薬を生み出す

創薬標的から新薬を研究開発し、継続的に創薬パイプラインを創製可能な技術力



革新的な医薬品を次々に世に送り出すことにより、飛躍的な成長を目指す

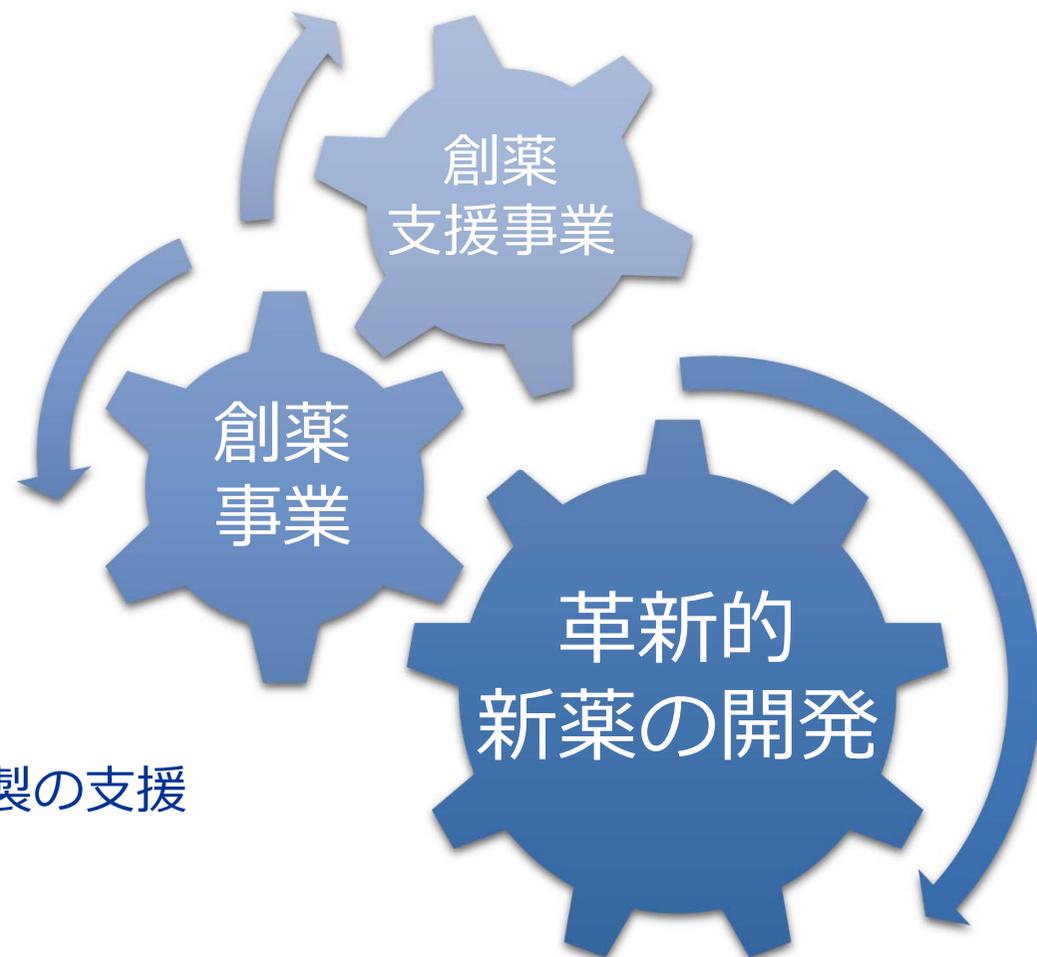


## <創薬事業>

- がん領域と免疫炎症領域を重点領域とした少数精鋭の研究体制
- ファーストインクラスとベストインクラスの両パイプラインの構築
- 自社での臨床試験によるパイプラインの価値最大化

## <創薬支援事業>

- 各製薬企業による新たなキナーゼ阻害薬創製の支援
- 自社創薬事業への投資資源の確保



- **行使価額修正条項付き第17回新株予約権の行使完了（4月）**
- 当社の企業価値向上を図るインセンティブを与えるため、取締役・従業員に譲渡制限付株式を付与（5月）
- **ギリアド社と新規がん免疫療法の創薬プログラムについてライセンス契約を締結（6月）**
- CDC 7 キナーゼ阻害薬に係る日本における特許査定（6月）

7月以降

---

- **行使価額修正条項付き第18回新株予約権の発行（7月）**

# 創藥事業

当社の創薬技術力は、世界的製薬企業に認められており、これまでに、Johnson & Johnson、Sierra Oncology、Gilead Sciences、大日本住友製薬と、ライセンスおよび共同研究契約を締結しています。



# 豊富な創薬パイプライン



化合物	標的	対象疾患	探索	前臨床	臨床	導出先
SRA141 (AS-141)	CDC7/ASK	がん		IND 申請完了		SIERRA ONCOLOGY
低分子	キナーゼ	がん免疫				GILEAD
低分子	キナーゼ	精神神経疾患				大日本住友製薬

化合物	標的	対象疾患	探索	前臨床	臨床	共同研究先
AS-0871	BTK	免疫炎症疾患				
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫				
低分子	Wnt-signal	がん・がん免疫				国立研究開発法人 国立がん研究センター National Cancer Center Japan
低分子	TGFβ signaling	血液がん・がん免疫				広島大学
低分子	キナーゼ	免疫炎症疾患				
低分子	N/A	マラリア				北里大学 KITASATO UNIVERSITY
低分子	非開示	がん				国立研究開発法人 国立がん研究センター National Cancer Center Japan

# ギリアド社とライセンス契約を締結



当社が独自に創出した新規がん免疫療法の創薬プログラムをギリアド・サイエンシズに導出

- 契約金額 契約一時金 20百万ドル（約21億円）受領済  
開発状況や上市などに応じたマイルストーン最大450百万ドル（約472億円）
- ロイヤリティ 上市後の売上高の一定割合

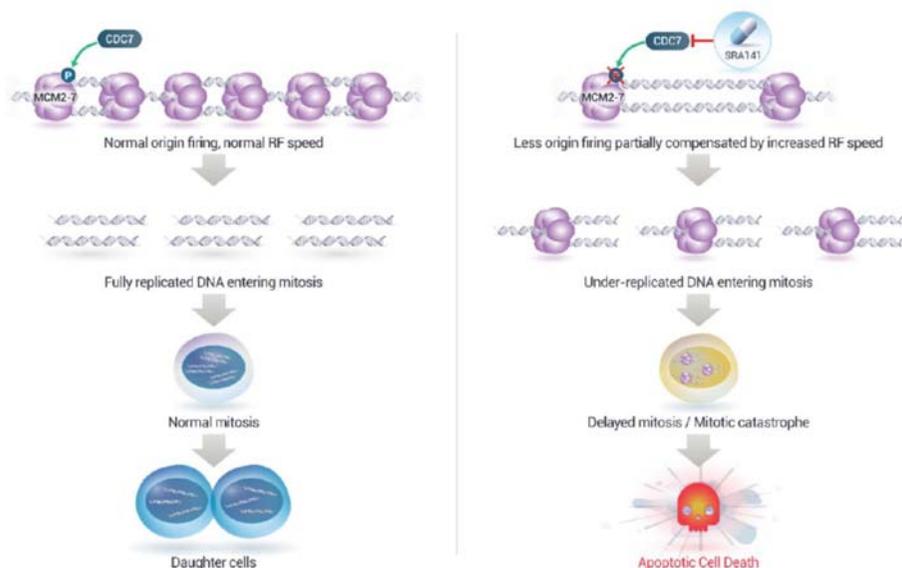


\*上記ライセンス契約とは別に、ギリアド社による当該プログラムの開発をサポートするために、当社が開発した脂質キナーゼ阻害剤に関する創薬基盤技術を、有償でギリアド社に一定期間、独占的に供与します。

# CDC7阻害薬 SRA141：がん (シエラ・オンコロジー社へ導出)

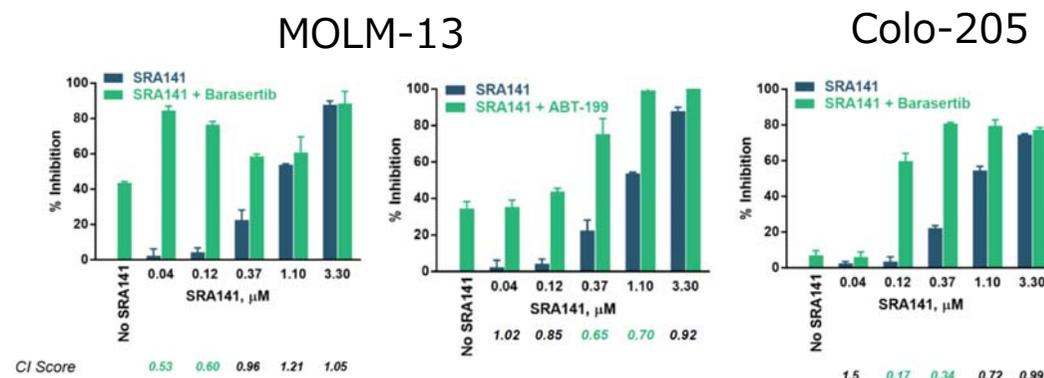


- ✓ 米国におけるIND申請（新薬臨床試験開始届）が完了しており、シエラ社は大腸がん患者を対象としたフェーズ1/2試験の準備中。臨床試験が開始されますと当社は最初のマイルストーン収入（4百万ドル）を受領することになります。（当社の2019年12月期連結業績予想にシエラ社からのマイルストーン収入は含まれておりません。）
- ✓ シエラ社は、SRA141の開発を引き続き前進させるため、様々な選択肢を戦略的に検討中。
- ✓ 当社はシエラ社と密に連携しながら、SRA141の開発状況をモニターしていきます。



## CDC7 Kinase Inhibition by SRA141 Induces a Potentially Novel Caspase-Dependent Tumor Cell Apoptosis Associated with Altered DNA Replication and Cell Cycle Dynamics

Veena Jagannathan<sup>1</sup>, Snezana Milutinovic<sup>2</sup>, Ryan J. Hansen<sup>2</sup>, Bryan Strouse<sup>2</sup>, Christian Hassig<sup>2</sup>, Eric Brown<sup>1</sup>  
<sup>1</sup>University of Pennsylvania, Cancer Biology, Philadelphia, PA, <sup>2</sup>Sierra Oncology, Vancouver, BC, Canada



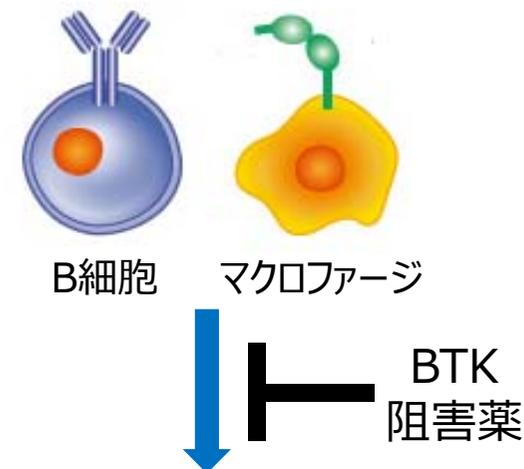
Source: Sierra Oncology

## ブルトン型チロシンキナーゼ (BTK)

- ✓ B細胞やマクロファージにおいて、重要な役割をしているキナーゼ
- ✓ 最初のBTK阻害薬イブルチニブの成功で非常に注目されている
- ✓ イブルチニブのピークセールス見込みは90億ドル以上

### ◆ 上市済みのBTK阻害薬の売上

発売	製品名	会社	主疾患	2018年	2024年 予想
2013年	イブルチニブ	AbbVie J&J	血液がん	44億ドル	95億ドル*1
2017年	アカラブルチニブ	Astra Zeneca	血液がん	62百万ドル*2	



**血液がん**  
リンパ性白血病など

**アレルギー・自己免疫疾患**  
リウマチ、喘息、全身性エリテマトーデスなど

## ◆ 自己免疫疾患をターゲットとして開発中

化合物	開発会社	開発段階
BMS-986142	BMS	P2
Fenebrutinib (GDC-0853)	Roche / Genentech	P2

## ◆ がんをターゲットとして開発中

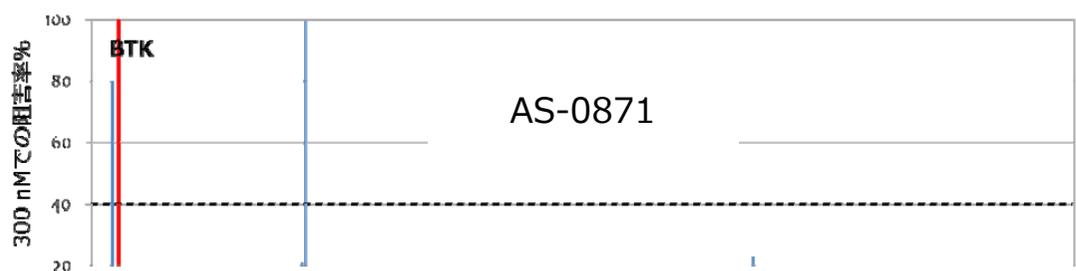
化合物	開発会社	開発段階
vecabrutinib (SNS-062)	Sunesis	P1b/2
ARQ531	ArQule	P1

## AS-0871 : 自己免疫疾患を対象に開発

- |                                                                                                  |                                                                                                                                  |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"><li>● 低分子BTK阻害剤</li><li>● 非共有結合型</li><li>● 高いキナーゼ選択性</li></ul> | <ul style="list-style-type: none"><li>● 関節炎モデルで高い治療効果</li><li>● 全身性エリテマトーデスモデルで効果</li><li>● 2019年中のCTA申請に向けて、前臨床試験を実施中</li></ul> |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

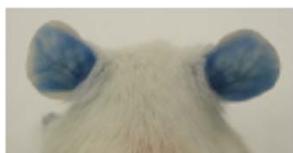
- ✓ GMP基準（医薬品等の製造管理及び品質管理の基準）での原薬合成が完了。
- ✓ GLP基準（医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施基準）での各種毒性および安全性試験がほぼ終了。
- ✓ 現在、治験薬の製造を実施しておりますが、その製造過程において追加検討が必要ということが判明し、遅れが発生。
- ✓ 現時点では2019年中のCTA申請（欧州における臨床試験許認可）を目指して、引き続き前臨床試験を進めております。

## ◆ 非常に高いキナーゼ選択性



279 キナーゼ →

## ◆ アレルギー反応の抑制

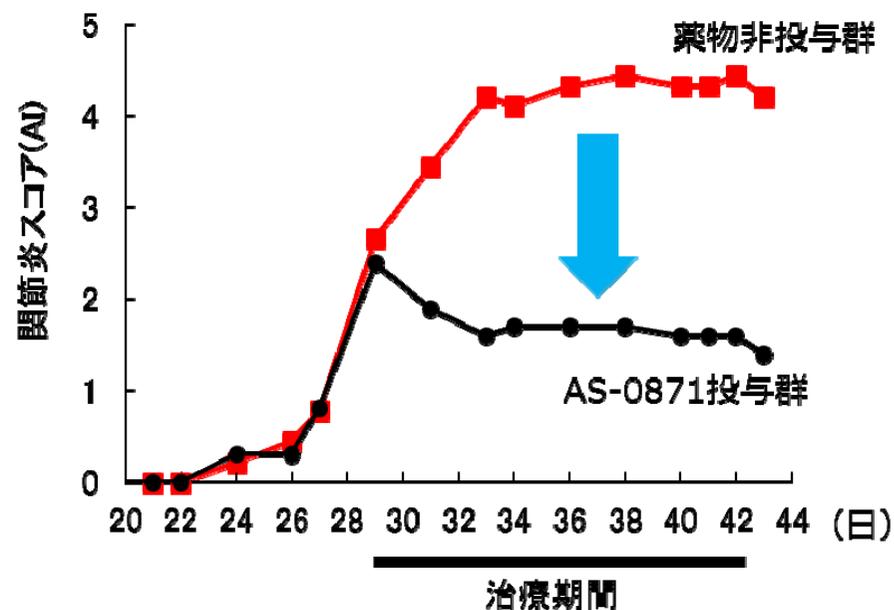


溶媒



AS-0871

## ◆ コラーゲン誘発関節炎マウスモデルにおける高い治療効果

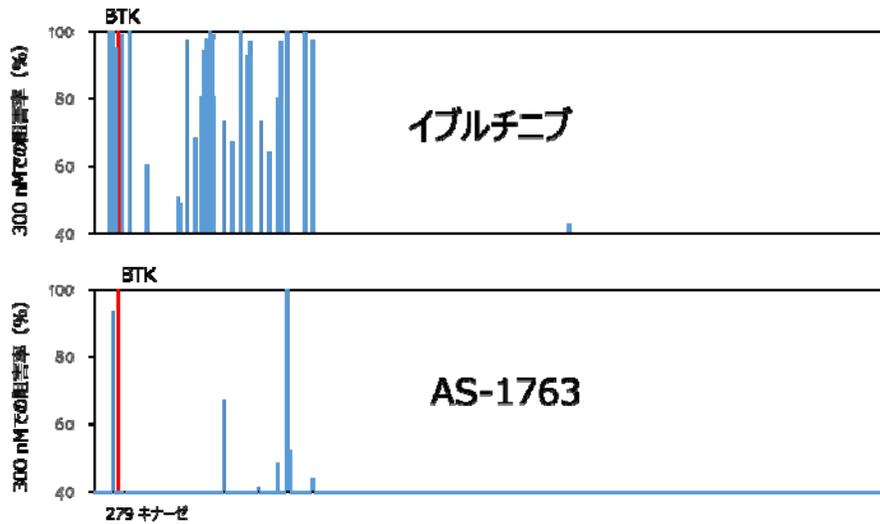


## AS-1763 : 血液がんを対象に開発

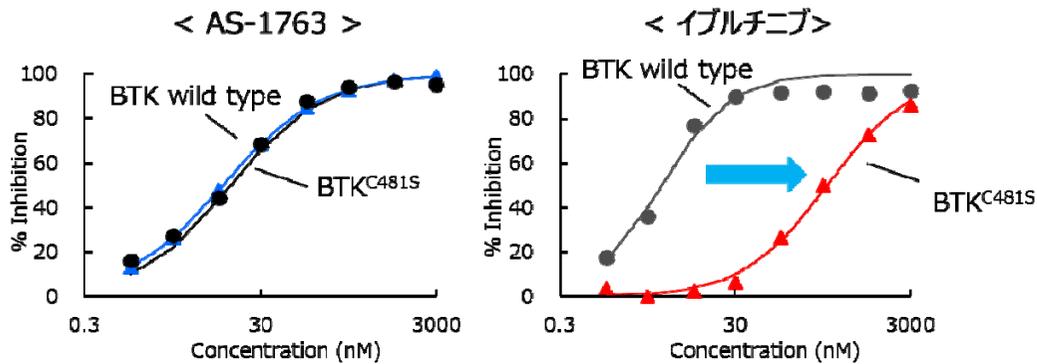
- |                                                                                                                         |                                                                                                                                                             |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"><li>● 非共有結合型</li><li>● 高いキナーゼ選択性</li><li>● イブルチニブ耐性BTK(C481S変異体)にも強い阻害活性を示す</li></ul> | <ul style="list-style-type: none"><li>● リンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果</li><li>● 2020年のIND申請に向けて、前臨床試験を実施中</li><li>● がん免疫モデルにおいても効果を発揮</li><li>● 自己免疫疾患にも適用拡大可能</li></ul> |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

- ✓ GMP基準での原薬合成が完了。
- ✓ 当社で初めての臨床試験となる、AS-0871の2019年中のCTA申請に向けて社内リソースを集中させるとともに、2019年の黒字化を確固とするため、IND申請（米国における新薬臨床試験開始届）を2020年に変更いたしました。
- ✓ 時間的猶予ができたことから、薬物動態の向上を目指した新規製剤技術の検討を図り、さらなる効果増強を目的とした試験を進めていく予定です。

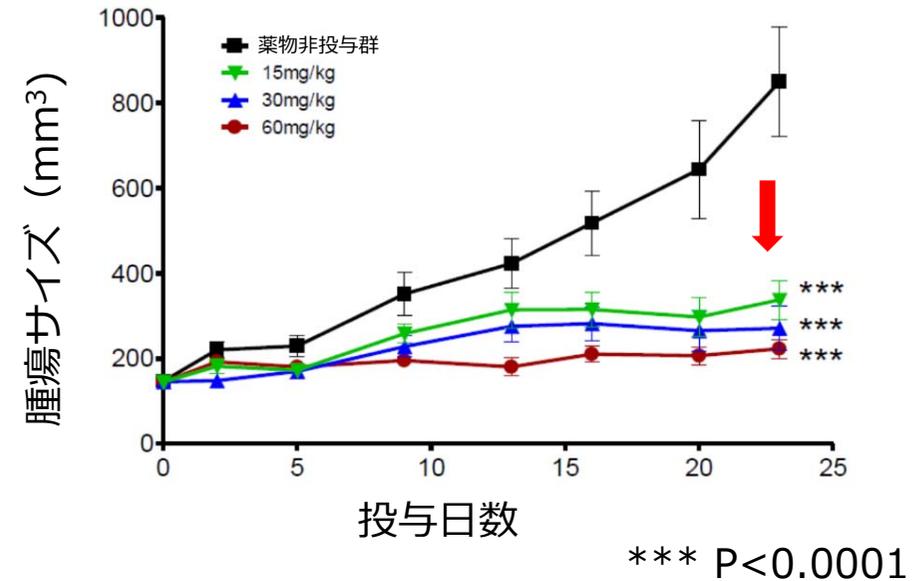
## ◆ 非常に高いキナーゼ選択性



## ◆ BTK変異体に対しても高活性



## ◆ 血液がんモデルにおける高い抗腫瘍効果



# 創薬支援事業

- ✓ 国内では、顧客ニーズを掘り起こす営業活動を行っており、売上計画の達成を目指しています。
- ✓ 北米ではメガファーマからの安定的な受注に加え、新興バイオベンチャーからの受注増加が引き続き売上増に寄与しました。今後も新規顧客開拓によるシェア拡大を目指します。
- ✓ 中国は昨年に引き続き好調。現地代理店と共同で展示会に出展するなど、より積極的なプロモーションを行っていきます。
- ✓ 2018年末にサービスを開始したNanoBRETは順調な立ち上げとなっています。

# 2019年12月期第2四半期 業績概要

# 2019年12月期 第2四半期 連結経営成績の概況



(百万円)	2018年 第2四半期 実績	2019年 第2四半期 実績	前年同期比	2019年 通期計画	要因
売上高	399	<b>2,460</b>	+2,061 +516.6%	3,038	ギリアド社への導出に伴い契約一時金 2,128百万円を計上
営業損益	△436	<b>1,451</b>	+1,888	313	契約一時金計上に伴い粗利益が増加
経常損益	△443	<b>1,446</b>	+1,889	279	
当期純損益	△489	<b>1,195</b>	+1,685	214	
研究開発費	468	<b>504</b>	+35 +7.7%	1,808	前臨床試験費用への投資

(注1) 百万円未満は切り捨てして表示しています。

(注2) 対前年同期増減率における「営業損益」「経常損益」「当期純損益」は、それぞれ前年同期に損失を計上しているため数値を表示していません。

(注3) 2019年12月期計画値は、2019年6月25日公表値を表示しています。

# 2019年12月期 第2四半期 事業別業績の概況



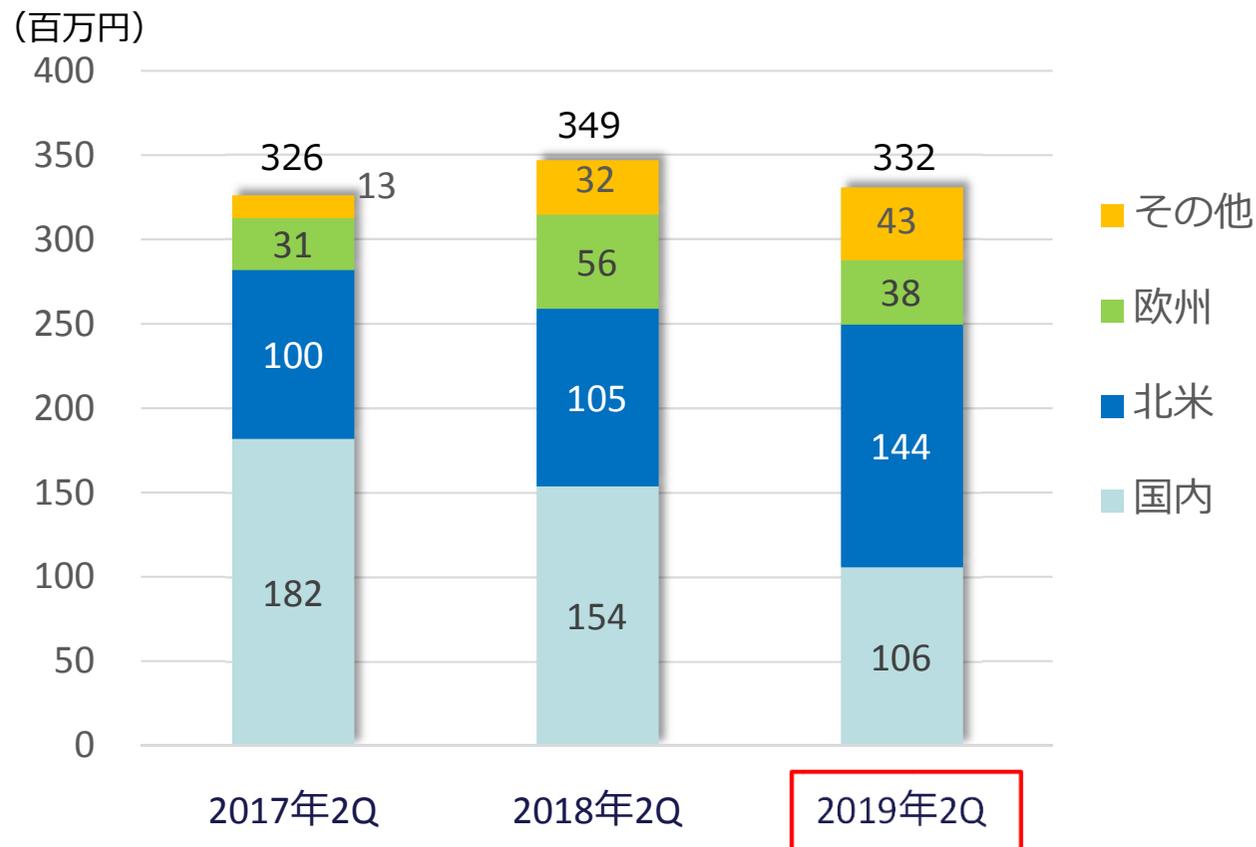
(百万円)	2018年 第2四半期 実績	2019年 第2四半期 実績	前年比	2019年 通期計画	要因
連結売上高	399	<b>2,460</b>	+2,061 +516.6%	3,038	
創薬支援	349	<b>332</b>	△16 -4.7%	938	米国、その他地域で伸長したものの、日本、欧州の減少を補えず減収
創薬	50	<b>2,128</b>	2,078 42倍	2,100	ギリアド社への導出に伴い契約一時金2,128百万円を計上
連結営業損益	△436	<b>1,451</b>	+1,888	313	
創薬支援	78	<b>15</b>	△62 -80.0%	247	新製品・サービス開発に伴う研究開発費等が一時的に増加
創薬	△515	<b>1,435</b>	+1,951	65	前臨床試験費用への投資

(注1) 百万円未満は切り捨てて表示しています。

(注2) 対前年同期増減率における「営業損益」「経常損益」「当期純損益」は、前年同期にそれぞれ損失を計上しているため数値を表示していません。

(注3) 2019年12月期計画値は、2019年6月25日公表値を表示しています。

## 創薬支援事業 地域別累計売上高推移（連結）



- 国内：前年比30.9%減  
顧客の決算期末である3月に例年見られる駆け込み需要が少なく、4月以降も第1四半期の落ち込みをカバーできなかった。
- 米国：前年比36.7%増  
プロファイリング受託が大幅に伸長。キナーゼタンパク質販売も好調。米国は現地通貨ベースで上期として過去最高の売上を計上。
- 欧州：前年比32.5%減  
プロファイリング受託は伸長したものの、キナーゼタンパク質の販売減を補えず減収。
- その他：前年比34.4%増  
昨年に引き続き、中国への販売が好調。

# バランスシートの状況 (連結)



(単位：百万円)

	2018年12月期	2019年12月期 第2四半期末	増減額	増減理由
流動資産	1,671	3,785	+2,114	売掛金+2,152
現金及び預金	1,355	1,324	△30	
固定資産	98	115	+16	
資産合計	1,770	3,901	+2,130	
流動負債	400	709	+308	未払法人税等+240
固定負債	482	392	△90	長期借入金△85、社債△14等
負債合計	882	1,101	+218	
純資産合計	887	2,799	+1,912	資本金及び資本剰余金+721、利益剰余金+1,195
負債・純資産合計	1,770	3,901	+2,130	

自己資本比率	49.7%	71.7%
一株当たり純資産	86.8円	258.0円
PBR(株価純資産倍率)	10.37倍	9.54倍
(参考) 当社株価	900円	2,462円

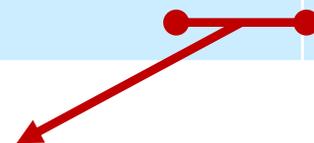
\* ギリアド社からの契約一時金20百万ドルは7月に入金があったため、第2四半期末の現金及び預金には含まれておりません。

(注) 当社株価はJASDAQグロース終値。

自社創薬 研究開始	創薬力の 具現化	パイプライン価値 の最大化	持続的な利益 の創出
2010～2015	2016～2020	2021～2025	2026～2030
<ul style="list-style-type: none"> <li>社内研究体制の構築</li> <li>創薬パイプラインの構築</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>複数パイプラインの導出</li> <li>自社臨床試験の開始</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>自社臨床試験でのヒトPOC</li> <li>マイルストーン収入による経営の安定化</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>複数パイプラインによるマイルストーン、ロイヤリティー収入</li> </ul>



画期的な薬を  
持続的に生み出す  
リーディング「創薬」  
企業へ



## <2019 & 2020 研究開発計画>

- AS-0871
  - ✓ CTA 申請 (2H2019)
  - ✓ FIH (2H2019～1H2020)
- AS-1763
  - ✓ IND 申請 (2020)
  - ✓ FIH (2020)
- 少なくとも 1 テーマの前臨床段階へのステージアップ(2020)

## <収入>

- SRA141 (AS-141), 大日本住友製薬, Gileadからのマイルストーン収入、ロイヤリティー収入
- 新たな導出に伴う収入

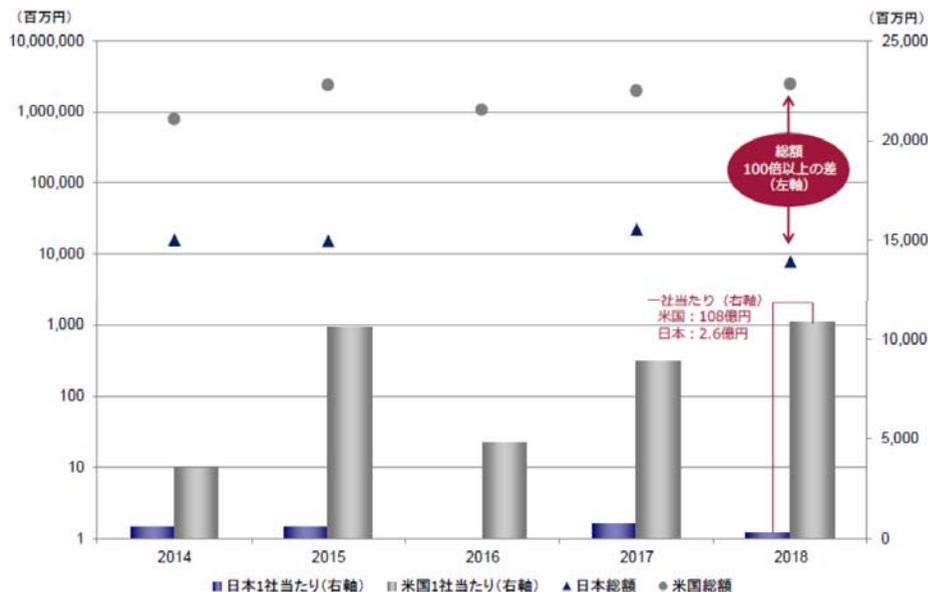
CTA: 欧州における臨床試験許認可  
 IND: 米国における新薬臨床試験開始届  
 FIH: ヒトへの初めての投与  
 ヒトPOC: 新薬候補物質の有効性や安全性がヒトで確認されること。

## ■ 創薬型ベンチャーの資金調達手法は極めて限られている

「伊藤レポート2.0～バイオメディカル産業版～（経済産業省）より抜粋」

- ✓ 公募増資は、米国では頻繁かつ短期間で行われているが、日本ではそのような資金調達を特に創薬ベンチャーが行うことは難しい。
  - ✓ 公募増資における引受審査のプロセスについて、日本では個人投資家保護を目的に業績審査が必要とされ、損益計算書が増益基調なこと、2カ年の事業計画などが求められる。
  - ✓ 公募増資を行う期間について、日本では公募開始から発行価格決定まで2週間程度要するため（米国は最短1日）、その間に株価が下落し、当初予定していた調達額を下回ることが多い。
- ⇒ 時価総額の小さい日本の創薬型ベンチャーの資金調達手法は、現実的には第三者割当増資やMSワラントが主になる。

米国と日本のバイオベンチャーの公募増資による資金調達額の比較



出所：経済産業省：伊藤レポート2.0～バイオメディカル産業版～ 2019年7月18日改訂版  
Carna Biosciences, Inc. All rights reserved.

米国と日本の証券会社引受審査の比較

日本	米国
<p><b>主幹証券会社による業績審査</b></p> <p>2カ年の事業計画、また事業計画に則した資金使途の合理的な説明が必要。また、基本的には増益基調を求める。</p> <p>→治験の状況、外部環境の変化によって柔軟な対応が必須（事業計画通りに事が進む可能性は極めて低い）。自社開発に伴う「良い赤字」であっても赤字増加が受け入れられる可能性は低い。</p> <p>証券会社の引受部、引受審査部に新薬開発の可能性、マーケット、競合状況、特許の有効性の判断ができるのか？→知見を有した専門家は稀な存在。</p> <p>国内公募に参加する投資家は個人投資家が中心、特に時価総額が500億円未満の中小型株に関しては顕著な傾向</p> <p>（個人）投資家保護のために…</p> <p><b>結論として、創薬ベンチャーは国内公募増資が困難</b></p>	<p><b>引受証券会社による開示審査</b></p> <p>事業計画等の提出は不要。</p> <p>あらゆる可能性をリスク情報として記載。</p> <p>バイオ株式の投資家は機関投資家が中心、ファンドマネージャー、アナリストはMD、PhDが当たり前。</p> <p>→将来のキャッシュフロー及び成功確率を独自に設定、フェアバリューを計算。</p> <p>S-3（有価証券の募集に係る発行登録）をベースにPROSPECTUS SUPPLEMENT（目論見書追補書類）をSECにファイリングすることで募集を開始できる。→SECファイリングされた書類に目を通すのは投資に際し、当たり前の話（投資は自己責任）。</p> <p>但し、書かれていないリスクが顕在化した場合や開示に虚偽記載があった場合の経営者に対するペナルティは甚大。</p>

出所：経済産業省：伊藤レポート2.0～バイオメディカル産業版～ 2019年7月18日改訂版

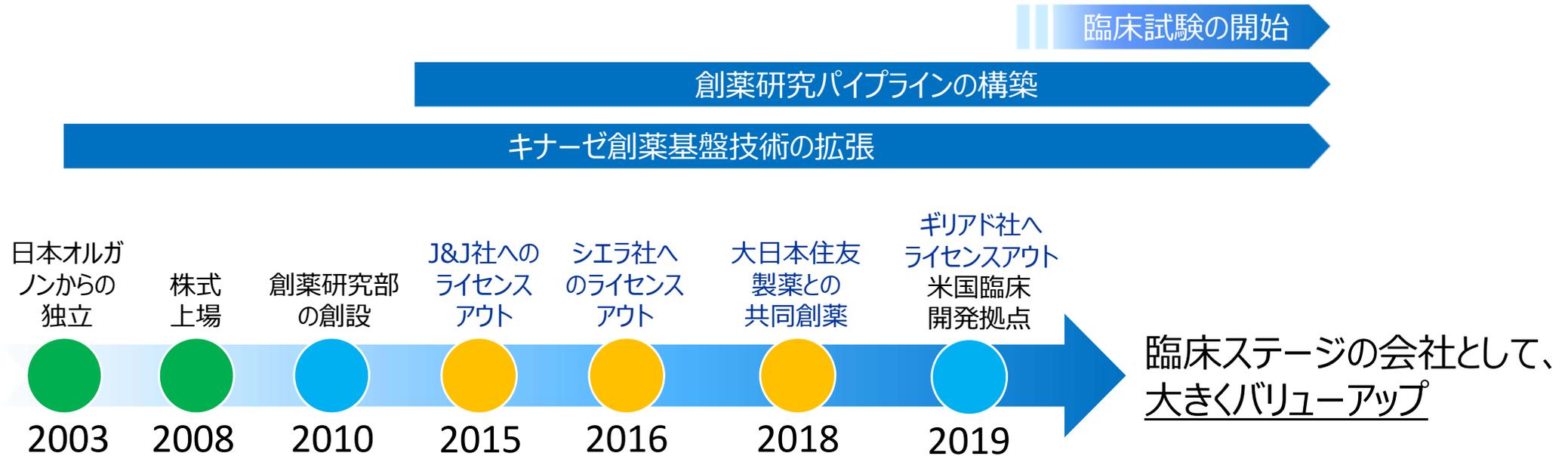
## ■ 行使価額修正条項付き第18回新株予約権を発行

決議日（割当日）	2019年7月11日（2019年7月29日）
発行新株予約権数	1,625個（1,625,000株）
調達資金の額	4,556百万円（当初行使価額に基づく差引手取概算額）
行使価額及び行使価額の修正条件	当初行使価額：2,805円 行使価額の修正：各行使請求日の直前取引日終値の92%の価額に修正される
割当先	メリルリンチ日本証券
特徴	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 上限行使価額はなく、下限行使価額は1,683円で固定。</li> <li>✓ 株価動向によらず、最大増加株式数は1,625,000株で一定。</li> <li>✓ 当社による行使の指定が可能。</li> <li>✓ 当社による行使の停止が可能。</li> </ul>

**財務基盤を強化し、研究開発を加速させることで事業価値最大化を目指すため、以下の費用に充当します。**

- ✓ BTK阻害剤 (AS-0871およびAS-1763)の前臨床試験費用および臨床試験費用
- ✓ 今後前臨床試験段階に進むその他の開発化合物の前臨床試験費用
- ✓ 新規パイプラインの創製および導入の費用

当社が築いてきたキナーゼ創薬基盤技術を活用し、病に苦しむ全世界の患者さんに貢献できる革新的医薬品の研究開発を進めています



- ◆ ブロックバスターの可能性のあるBTK阻害剤AS-0871およびAS-1763の前臨床・臨床試験を加速するために先行投資の実施
- ◆ 米国に開設した臨床開発拠点を中心に、自社臨床試験の開始に向けて準備を進める

今後とも一層のご指導とご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。



カルナ《CARNA》は、ローマ神話に登場する人間の健康を守る女神で、cardiac（心臓）の語源とも言われています。バイオサイエンス《BIOSCIENCES》は、生物科学と言われ、生物学（Biology）と生命科学（Life Science）から、つくられた言葉です。「生命科学の世紀」とも言われる21世紀の初めに、カルナバイオサイエンス社とともに新しい女神“カルナ”が誕生しました

## カルナバイオサイエンス株式会社

経営管理本部 経営企画部

〒650-0047

兵庫県神戸市中央区港島南町1-5-5 BMA3F

<http://www.carnabio.com/>

ir-team@carnabio.com

本資料につきましては投資家の皆様への情報提供のみを目的としたものであり、売買の勧誘を目的としたものではありません。  
本資料における、将来予想に関する記述につきましては、目標や予測に基づいており、確約や保証を与えるものではありません。  
将来における当社の業績が、現在の当社の将来予想と異なる結果になることがある点を認識された上で、ご利用下さい。  
また、業界等に関する記述につきましても、信頼できると思われる各種データに基づいて作成されていますが、当社はその正確性、完全性を保証するものではありません。  
本資料は、投資家の皆様がいかなる目的に利用される場合においても、ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものであり、当社はいかなる場合においてもその責任を負いません。