

# 2019年12月期 決算説明資料

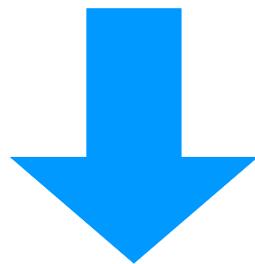
カルナバイオサイエンス株式会社



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

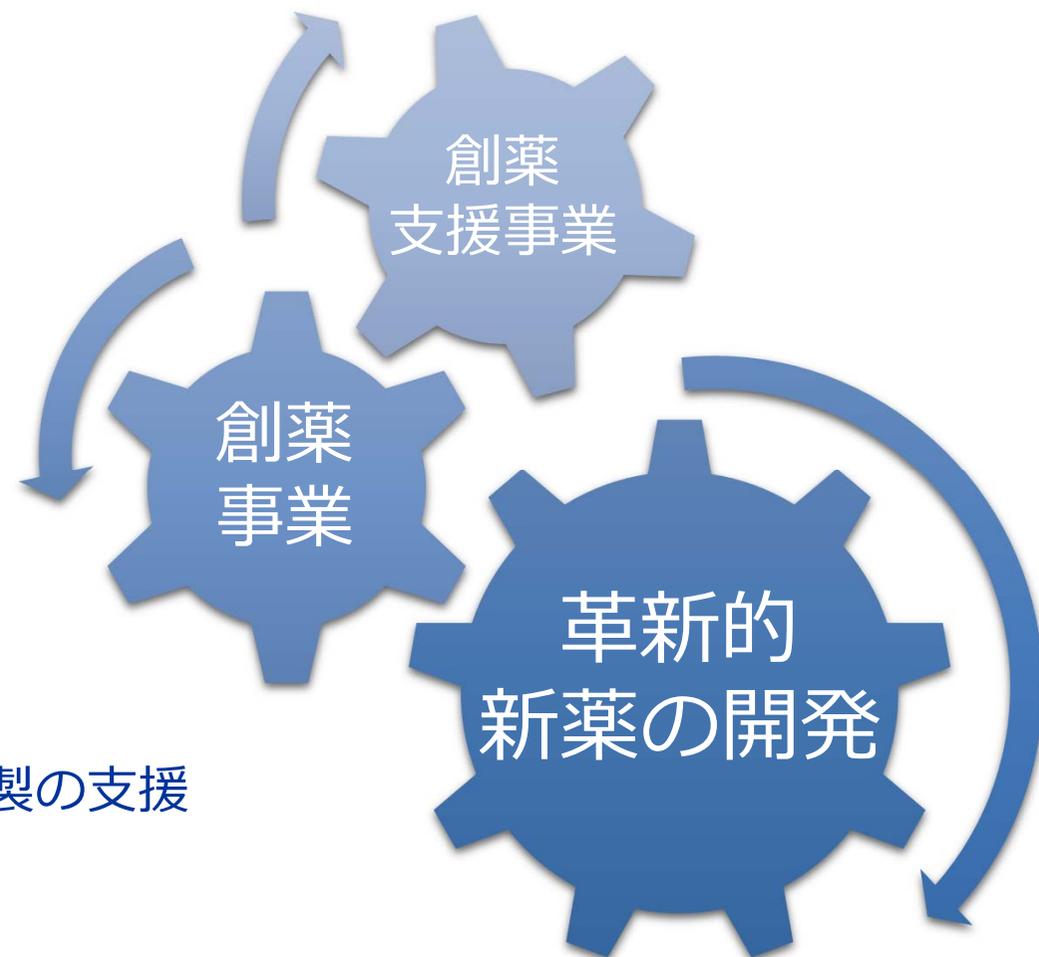


## <創薬事業>

- 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



- 米国Gilead Sciences, Inc.（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契約一時金20百万ドル（約21億円）、マイルストーン最大450百万ドル（約472億円）のライセンス契約を締結
- BTK阻害剤AS-0871の欧州におけるCTA（臨床試験許認可申請）
- 創薬支援事業で10億円の売上高を達成

## <創薬事業>

- SRA141：フェーズ I 開始に伴うマイルストーン収入（4百万ドル）
  - ➡ 導出先企業Sierra Oncology, Inc（シエラ社）は、momelotinibのフェーズ3試験にリソースを集中させるため、SRA141の開発に関して、様々な戦略オプションを検討すると発表
- AS-0871：CTA申請およびフェーズIの開始 ➡ 2019年12月にCTA申請
- AS-1763：IND申請 ➡ 2020年のIND申請に向けて前臨床試験実施中

## <創薬支援事業>

- 8億円の売上達成 ➡ 10.7億円の実績
- 北米での売上拡大 ➡ 現地通貨ベースで前年比160.5%増
- 新規サービス（NanoBRET）を軌道に乗せる ➡ 北米・欧州中心に順調に拡大

# 創藥事業

- 米国における自社臨床試験を開始するため、米国サウスサンフランシスコに臨床開発の拠点となるオフィスを開設（1Q）
- 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契約一時金20百万ドル（約21億円）、マイルストーン最大450百万ドル（約472億円）のライセンス契約を締結（2Q）
- 当社として初めての臨床試験に向けて、BTK阻害剤AS-0871の欧州におけるCTA（臨床試験許認可申請）（4Q）
- グローバルでの知的財産の確保
  - ✓ BTK阻害薬：中国での特許登録
  - ✓ Wntシグナル阻害剤：日本での特許登録
  - ✓ CDC7キナーゼ阻害剤：日本、韓国での特許登録
  - ✓ 新規マラリア治療薬：米国での特許登録

# 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。

化合物	標的	対象疾患	探索	前臨床	臨床	開発パートナー
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
AS-0871	BTK	免疫炎症疾患			CTA 申請完了	自社
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫				自社
低分子	Wnt-signal	がん免疫				自社
低分子	TGFβ signaling	血液がん・がん免疫				自社
低分子	キナーゼ	免疫炎症疾患				自社
低分子	N/A	マラリア				自社
低分子	キナーゼ	がん				自社

- ✓ 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。
- ✓ シエラ社は、mometinibのフェーズ3試験にリソースを集中させるため、SRA141の開発に関して、様々な戦略オプションを検討すると発表。
- ✓ 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。

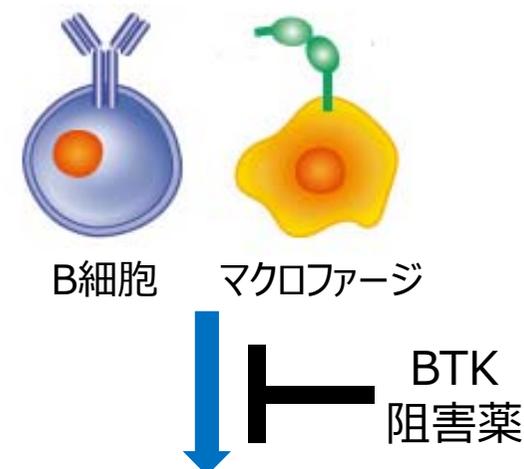
## ブルトン型チロシンキナーゼ (BTK)

- ✓ 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	

2019年1月に、非共有結合型BTK阻害剤LOXO-305を含むキナーゼ阻害剤を有する米Loxo Oncology社が、米Eli Lilly社に約80億ドル（当時約8,700億円）で買収され、2019年12月にも、非共有結合型BTK阻害剤ARQ 531を開発中の米ArQule社が、米Merck社に27億ドル（当時約2,900億円）で買収されたことから、非共有結合型BTK阻害剤の市場価値は非常に高いと考えられます。



<p><b>血液がん</b></p> <p>リンパ性白血病など</p>
<p><b>アレルギー・自己免疫疾患</b></p> <p>リウマチ、喘息、全身性エリテマトーデスなど</p>

出所：\*1 Evaluate Pharma  
\*2 会社資料

## ◆ 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

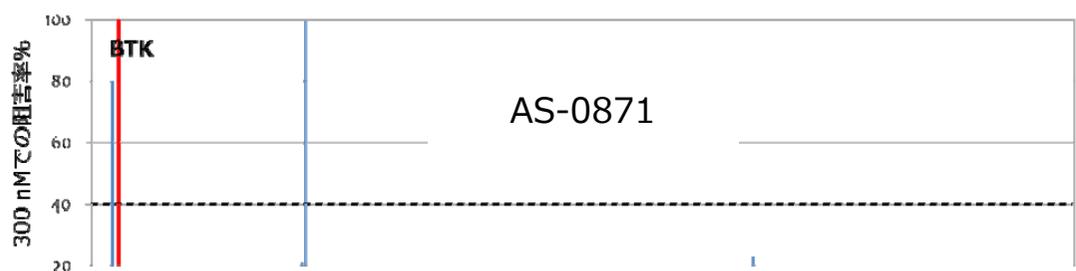
化合物	開発会社	開発段階
vecabrutinib (SNS-062)	Sunesis	P1b/2
ARQ531	Merck(ArQule)	P2
LOXO-305	Loxo / Lilly	P1/2

## AS-0871 : 炎症性免疫疾患を対象に開発

- 低分子BTK阻害剤
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- 関節炎モデルで高い治療効果
- 全身性エリテマトーデスモデルで効果
- 2020年2月にCTA承認

- ✓ 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終了。
- ✓ 2019年12月にオランダ当局にCTA（欧州における臨床試験許認可申請）を提出し、2020年2月に承認。
- ✓ 2020年上期の健康成人を対象とした臨床試験（フェーズ1試験）開始に向けて準備中。

## ◆ 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

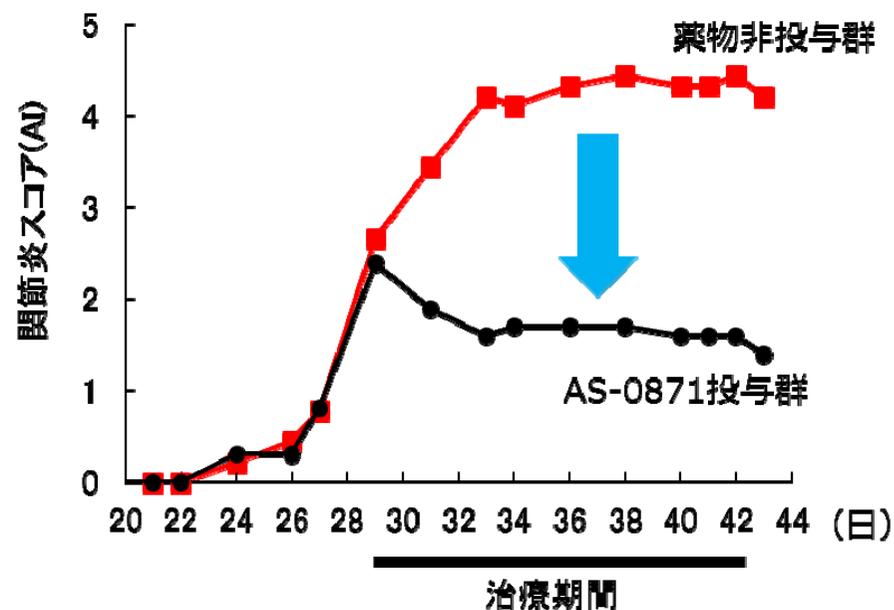


溶媒



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

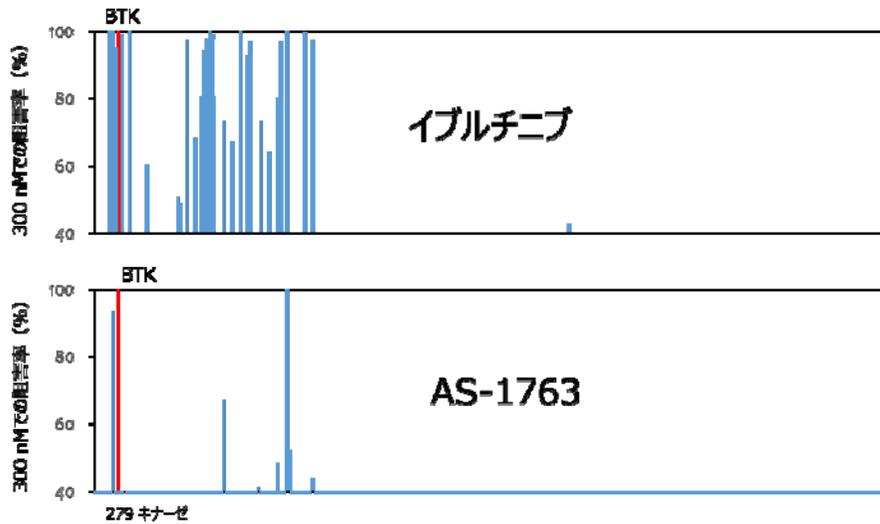


## AS-1763 : 血液がんを対象に開発

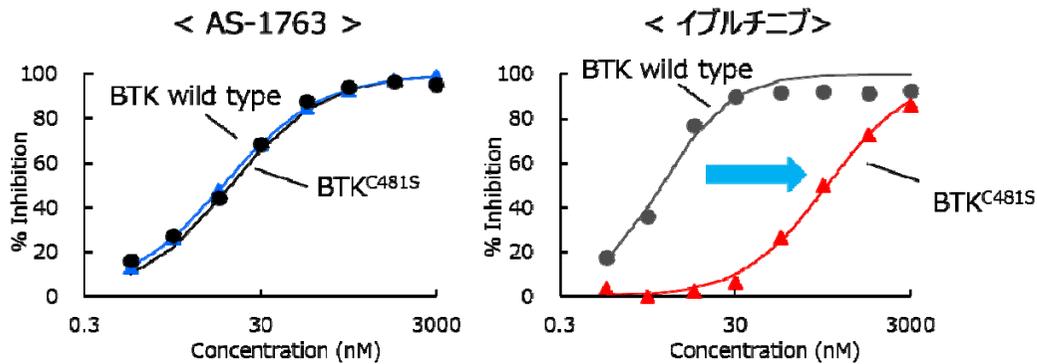
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- イブルチニブ耐性BTK(C481S変異体)にも強い阻害活性を示す
- リンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果
- 2020年のIND申請に向けて、前臨床試験を実施中
- がん免疫モデルにおいても効果を発揮
- 自己免疫疾患にも適用拡大可能

- ✓ 2020年中のIND申請（米国における新薬臨床試験開始届）を目指し、前臨床試験を実施しております。

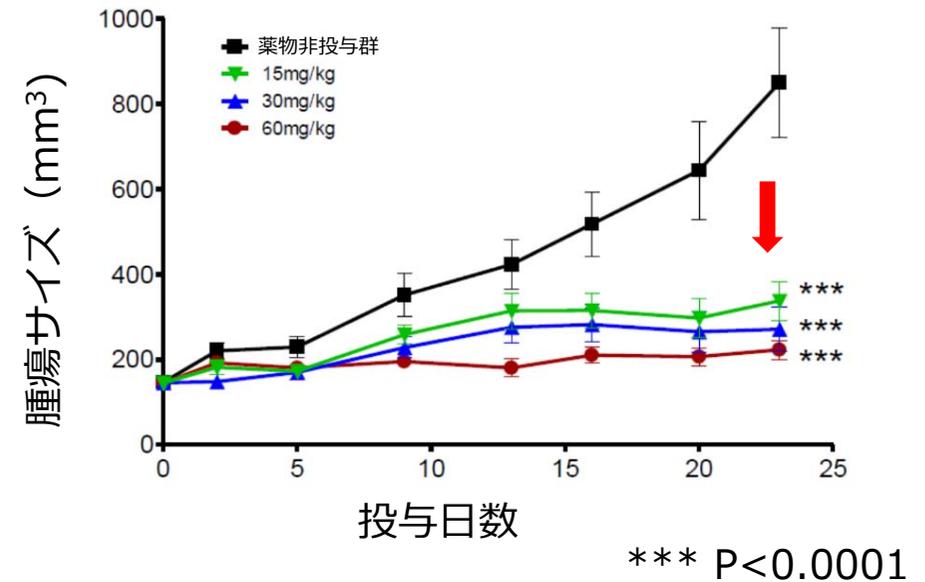
## ◆ 非常に高いキナーゼ選択性



## ◆ 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

- 創薬支援事業として、過去最高の1,079百万円の売上高を記録！
  - ✓ 北米：前期比154.0%増
  - ✓ 中国等を含むその他地域：前期比38.3%増
  
- 新規サービスの好調な立ち上がり
  - ✓ プロメガ社とのコラボにより実現した、NanoBRET™テクノロジーを用いた細胞評価の受託試験サービスが計画目標を大幅にクリア
  
- 従来製品のラインナップ拡充
  - ✓ オンリーワン製品であるビオチン化タンパク質製品：18個の新製品を投入
  - ✓ プロファイリングパネルの拡張：脂質キナーゼを含む2つの新規アッセイがパネルに追加

# 2019年12月期業績

# 2019年12月期 連結経営成績の概況



(百万円)	2018年 実績	2019年 実績	前年比	2019年計画 19/6/25修正	2019年計画 20/1/9修正	
売上高	754	<b>3,207</b>	+2,452 +325.0%	3,038	3,206	ギリアド社への導出に伴いQ2に契約一時金 2,128百万円を計上
営業損益	△1,144	<b>977</b>	+2,122	313	968	契約一時金計上に伴い粗利益が増加
経常損益	△1,159	<b>957</b>	+2,116	279	951	
当期損益	△1,210	<b>828</b>	+2,038	214	791	
研究開発費	1,140	<b>1,281</b>	+141 +12.4%	1,808	1,296	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) 「営業損益」「経常損益」「当期損益」の対前年同期増減率は、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。

# 2019年12月期 事業別業績の概況

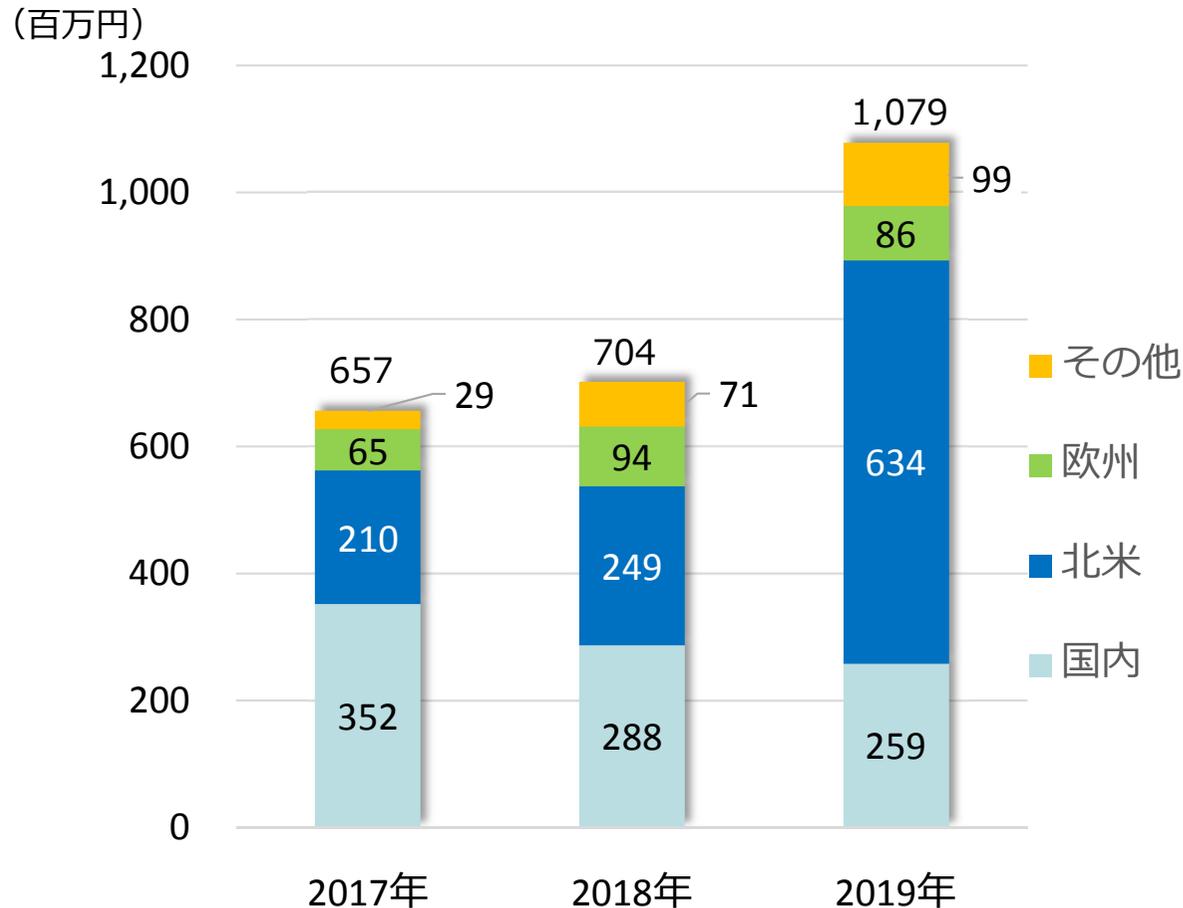


(百万円)	2018年 実績	2019年 実績	前年比	2019年計画 19/6/25修正	2019年計画 20/1/9修正	
連結売上高	754	<b>3,207</b>	+2,452 +325%	3,038	3,206	
創薬支援	704	<b>1,079</b>	+374 +53.2%	938	1,078	米国、中国の販売が好調
創薬	50	<b>2,128</b>	+2,078 +4156%	2,100	2,128	ギリアド社への導出に伴いQ2に契約一時金2,128百万円を計上
連結営業損益	△1,144	<b>977</b>	+2,122	313	968	
創薬支援	117	<b>400</b>	+283 +241%	247	403	自社製品・サービスの売上増により利益率が改善
創薬	△1,261	<b>577</b>	+1,839	65	564	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) 「連結営業損益」の対前年同期増減率は、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。

## 創薬支援事業 地域別売上高推移（連結）



- 国内：前年比10.2%減  
上期は前年比30.9%減だったものの、下期は前年比13.7%増。
- 米国：前年比154.0%増  
アッセイ開発、キナーゼタンパク質、プロファイリング受託が新興バイオベンチャー向け中心に大幅に伸長。ギリアド社向け売上も寄与。
- 欧州：前年比8.3%減  
2018年に好調だったキナーゼタンパク質が2017年並みの売上になったものの、アッセイキット、プロファイリングサービスは伸長。
- その他：前年比38.3%増  
中国への販売が引き続き好調。

# バランスシート状況 (連結)



(単位：百万円)

	2018年12月期	2019年12月期	増減額	増減理由
流動資産	1,671	5,274	+3,603	
現金及び預金	1,355	4,915	+3,559	
固定資産	98	101	+3	
資産合計	1,770	5,376	+3,606	
流動負債	400	1,055	+655	前受収益+310、未払金+141、未払法人税等+101、1年内返済長期借入金+66、
固定負債	482	467	△14	長期借入金+4、社債△28等
負債合計	882	1,523	+640	
純資産合計	887	3,853	+2,966	資本金及び資本剰余金+2,131、利益剰余金+828
負債・純資産合計	1,770	5,376	+3,606	

自己資本比率	49.7%	71.5%
一株当たり純資産	86.8円	329.8円
PBR(株価純資産倍率)	10.4倍	6.4倍
(参考) 当社株価	900円	2,123円

(注) 当社株価はJASDAQグロース年末終値。

## 創薬ビジョン2030の実現に向けて 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

### ■ 資金調達の目的

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

### ■ 第18回新株予約権の行使状況

回号	行使状況（2020年1月末まで）
第18回新株予約権	累計行使株式数 1,177,000株（発行総数の72.4%）
	累計行使価額 2,142百万円

# 2020年の事業計画

## <創薬事業>

- AS-0871 : フェーズIの開始 (上期)
- AS-1763 : IND申請 (下期)
- 少なくとも1テーマの前臨床段階へのステージアップ

## <創薬支援事業>

- 10.3億円の売上達成
- 新製品の発売
- NanoBRETのサービス拡大

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



## <2020年 研究開発計画>

- AS-0871
  - ✓ FIH (1H2020)
- AS-1763
  - ✓ IND 申請 (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、ロイヤリティ収入
- マイルストーン収入見込み (総額 最大で約860億円)**
- +
- 上市後の売上高に応じたロイヤリティ**
- 新たな導出に伴う収入

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。

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

# 2020年12月期 連結業績計画



(百万円)	2019年 実績	2020年 計画	前年比	
売上高	3,207	<b>1,036</b>	△2,171 -67.7%	
創薬支援	1,079	<b>1,036</b>	△43 -4.0%	2019年は大口受注が複数あったことを考慮した計画
創薬	2,128	-	△2,128	2019年はギリアド社からの契約一時金を計上
営業損益	977	△ <b>1,779</b>	△2,757	
創薬支援	400	<b>375</b>	△24 -6.2%	
創薬	577	△ <b>2,155</b>	△2,732	研究開発費への投資
経常損益	957	△ <b>1,794</b>	△2,752	
当期損益	828	△ <b>1,822</b>	△2,650	
研究開発費	1,281	<b>2,040</b>	+758 +59.1%	AS-0871の臨床試験費用およびAS-1763の前臨床試験費用
設備投資	42	<b>54</b>	+12	研究開発用機器、情報システム機器の新設、更新

(注1) 百万円未満は切り捨てして表示しています。

(注2) 「営業損益」「経常損益」「当期損益」の対前年同期増減率は、それぞれ損失を計上する計画のため数値を表示していません。

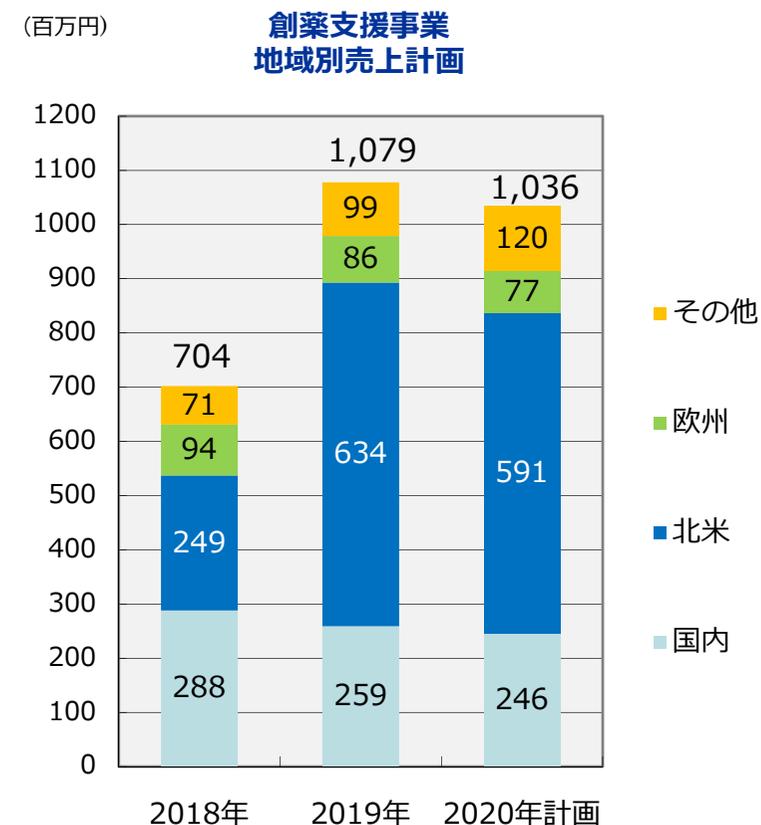
# 創薬支援事業 連結売上高計画



(単位：百万円)	2018年 実績	2019年 実績	2020年 計画
創薬支援事業	704	1,079	<b>1,036</b>
タンパク質販売	314	385	<b>340</b>
アッセイ開発	27	310	<b>338</b>
プロファイリング・スクリーニング	227	252	<b>230</b>
セルベースアッセイ関連	4	19	<b>19</b>
セルベースアッセイ関連 (仕入品目)	109	78	<b>84</b>
その他	21	32	<b>24</b>

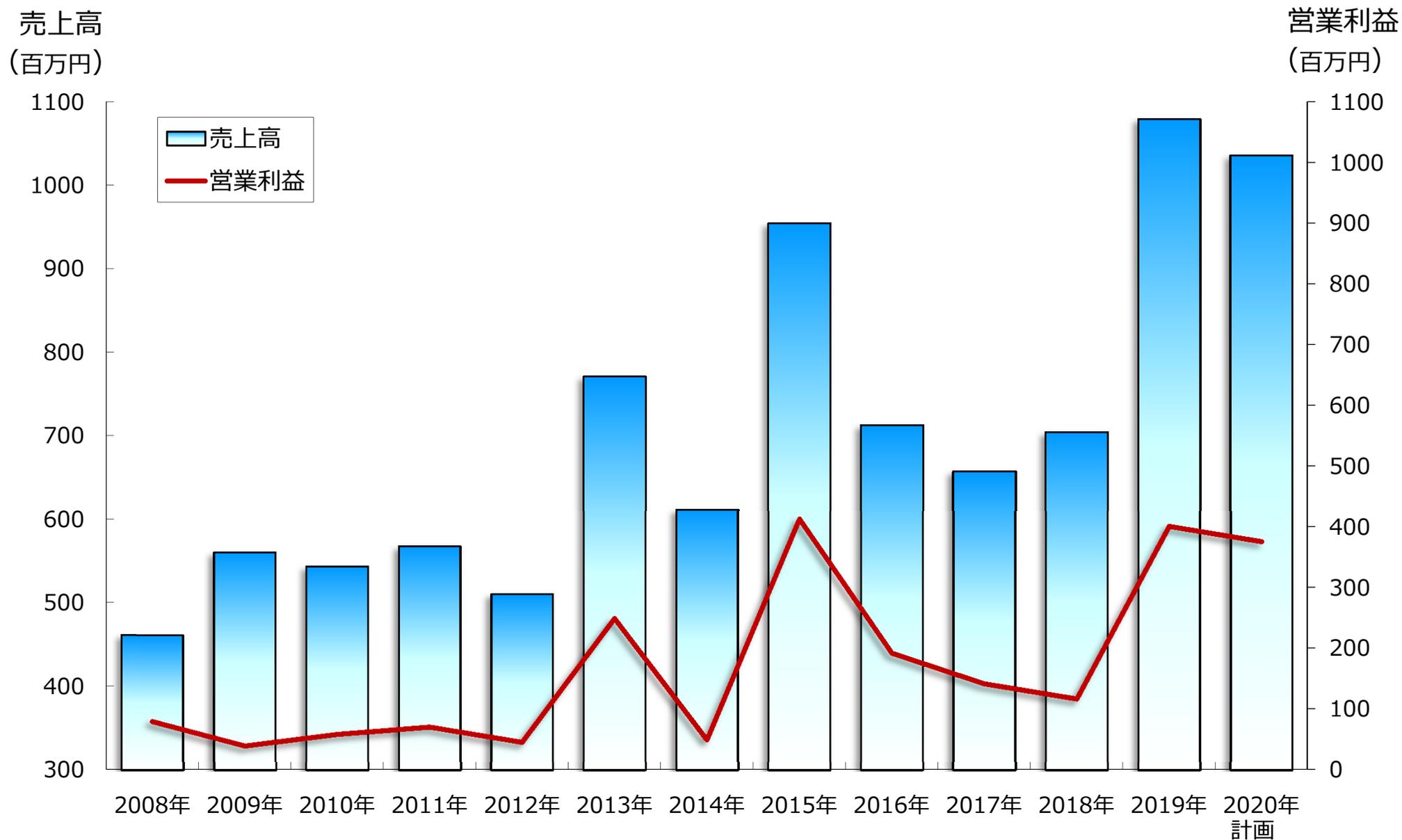
為替レート(US\$):	110.45円	109.30円	<b>105.0円</b>
海外売上比率:	59.1%	76.0%	<b>76.0%</b>

(注)：実績為替レートは期中平均レートを表示しております。



- ✓ 2020年もギリアド社向け売上が寄与する見込みですが、2019年に複数の顧客から大口受注があったことを考慮した計画となっています。
- ✓ タンパク質新製品、NanoBRETなどの新サービスの受注拡大、新規顧客開拓を継続していきます。

# 創薬支援事業 売上高・営業利益推移



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

<https://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。