

2020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

- 減資の効力発生（6月）
 - **CDC7阻害剤AS-0141の開発・販売・製造に関する全権利を再取得（6月）**
 - BTK阻害薬に係る米国における特許査定（6月）
 - **BTK阻害剤AS-0871の第I相臨床試験 被験者スクリーニング開始（6月）**
-
- 新型コロナウイルス感染症への対応
 - ✓ 緊急事態宣言発令中は、全社で在宅勤務を取り入れ、接触機会を減らす対策を取りました。また、創薬支援事業の製品・サービスの提供は、シフト制による出社などの対策を取りながら、通常と同様に行いました。
 - ✓ 現在は、時差通勤、マスクの着用、一部社員の在宅勤務など感染対策を取りながら、通常と同様の製品・サービスの提供および研究開発活動を行っています。

創藥事業

化合物	標的	対象疾患	探索	前臨床	臨床	開発パートナー
AS-0141	CDC7/ASK	がん			IND完了	自社
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完了	自社
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫				自社 /  BioNova Pharmaceuticals (中華圏のみ)
低分子	Wnt-signal	がん、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	CDK1	がん				自社
低分子	STING	炎症性免疫疾患				自社

当社は、2016年にシエラ・オンコロジー社（カナダ）にAS-0141の開発権をライセンスしましたが、シエラ社が同社のmomelotinibのフェーズ3試験に経営資源を集中的に投資する決定をしたため、2020年6月に開発・販売・製造に関する全権利を再取得しました。シエラ社はAS-0141の米国におけるIND申請（新薬臨床試験開始届）を2018年Q3に完了させています。

AS-0141 : がんを対象に開発

- | | |
|---|--|
| <ul style="list-style-type: none">● 低分子CDC7阻害剤● 高いキナーゼ選択性● ファーストインクラスの可能性 | <ul style="list-style-type: none">● 様々な種類のがん細胞の増殖を強く阻害● 各種ヒト腫瘍移植動物モデルにおいて優れた抗腫瘍効果● 米国におけるIND申請完了 |
|---|--|

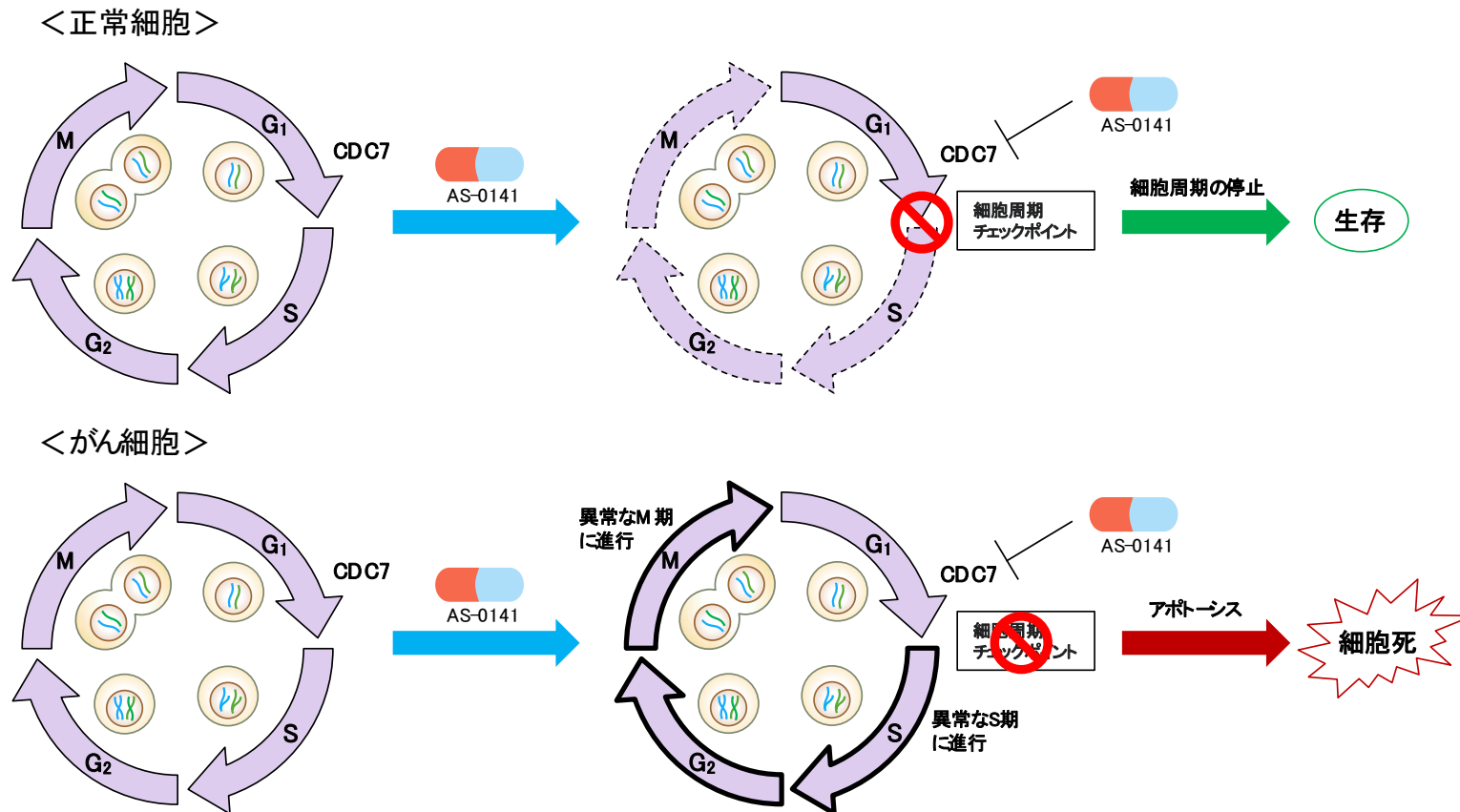
- ✓ シエラ社が実施したすべての前臨床試験データおよび原薬、治験薬等の移管作業の実施中。
- ✓ 新たな開発戦略計画の策定を開始。
- ✓ 2021年以降のフェーズ1試験開始予定。

CDC7阻害薬 AS-0141について



■ CDC7キナーゼ阻害剤

CDC7 (cell division cycle 7) は、セリン/スレオニンキナーゼの1種であり、細胞周期において染色体複製開始の制御に重要な役割をしています。がん細胞では、細胞周期の制御に異常をきたしているため、CDC7を阻害すると、不完全なDNA複製が引き金となって、染色体の不安定化を引き起こし、がん細胞に細胞死を誘導します。一方で、正常細胞は、細胞周期の制御が正常であるため、CDC7活性が阻害されても細胞は死ぬことなく、この点からCDC7阻害剤は非常に副作用の少ない新しい治療薬になると期待されています。近年、様々ながんでCDC7が過剰発現していることが報告されており、CDC7阻害薬は、がんの新しい治療薬として期待が寄せられています。



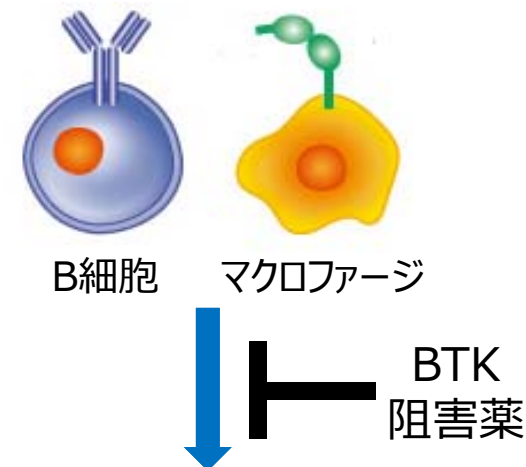
ブルトン型チロシンキナーゼ (BTK)

- ✓ 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100億ドル以上

◆ 上市済みのBTK阻害薬の売上

発売	製品名	会社	主疾患	2019年	2026年 予想
2013年	イブルチニブ	AbbVie J&J	血液がん	56億ドル	107億ドル*1
2017年	アカラブルチニブ	Astra Zeneca	血液がん	1.6億ドル*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ARQ531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>血液がん</p> <p>リンパ性白血病など</p>
<p>アレルギー・自己免疫疾患</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
Fenebrutinib (GDC-0853)	Roche / Genentech	P2

◆ がんをターゲットとして開発中

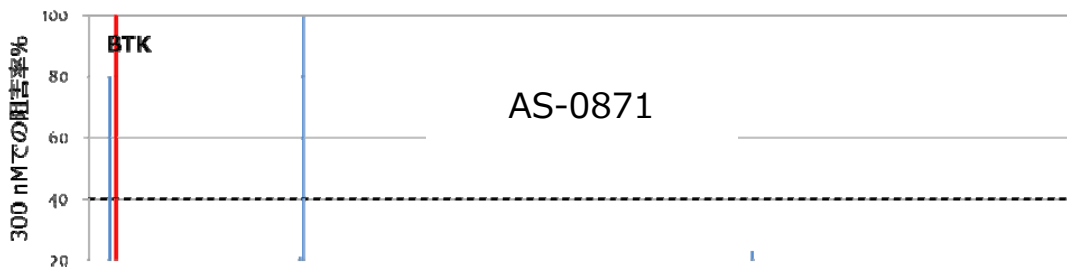
化合物	開発会社	開発段階
vecabrutinib (SNS-062)	Sunesis	P1b/2
ARQ531	Merck(ArQule)	P2
LOXO-305	Loxo / Lilly	P1/2

AS-0871 : 炎症性免疫疾患を対象に開発

- | | |
|--|---|
| <ul style="list-style-type: none">● 低分子BTK阻害剤● 非共有結合型● 高いキナーゼ選択性 | <ul style="list-style-type: none">● 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 |
|--|---|

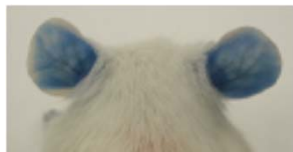
- ✓ 2019年12月にオランダ当局にCTA（欧州における臨床試験許認可申請）を提出し、2020年2月に倫理員会での審議も完了、臨床試験実施の承認を得ました。
- ✓ 第1四半期中に健康成人を対象とした臨床試験（フェーズ1試験）を開始する準備ができておりましたが、欧州での新型コロナウイルス感染拡大により、治験開始が延期となりました。
- ✓ 8月中に被験者への投与を開始する予定です。

◆ 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

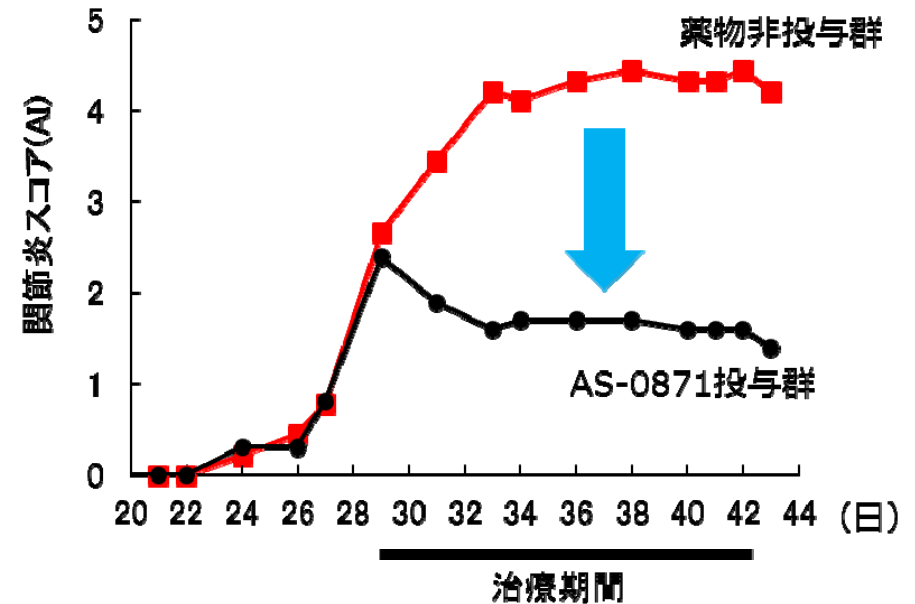


溶媒



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">● 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 | <ul style="list-style-type: none">● リンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果● 2020年のCTA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 |
|---|---|

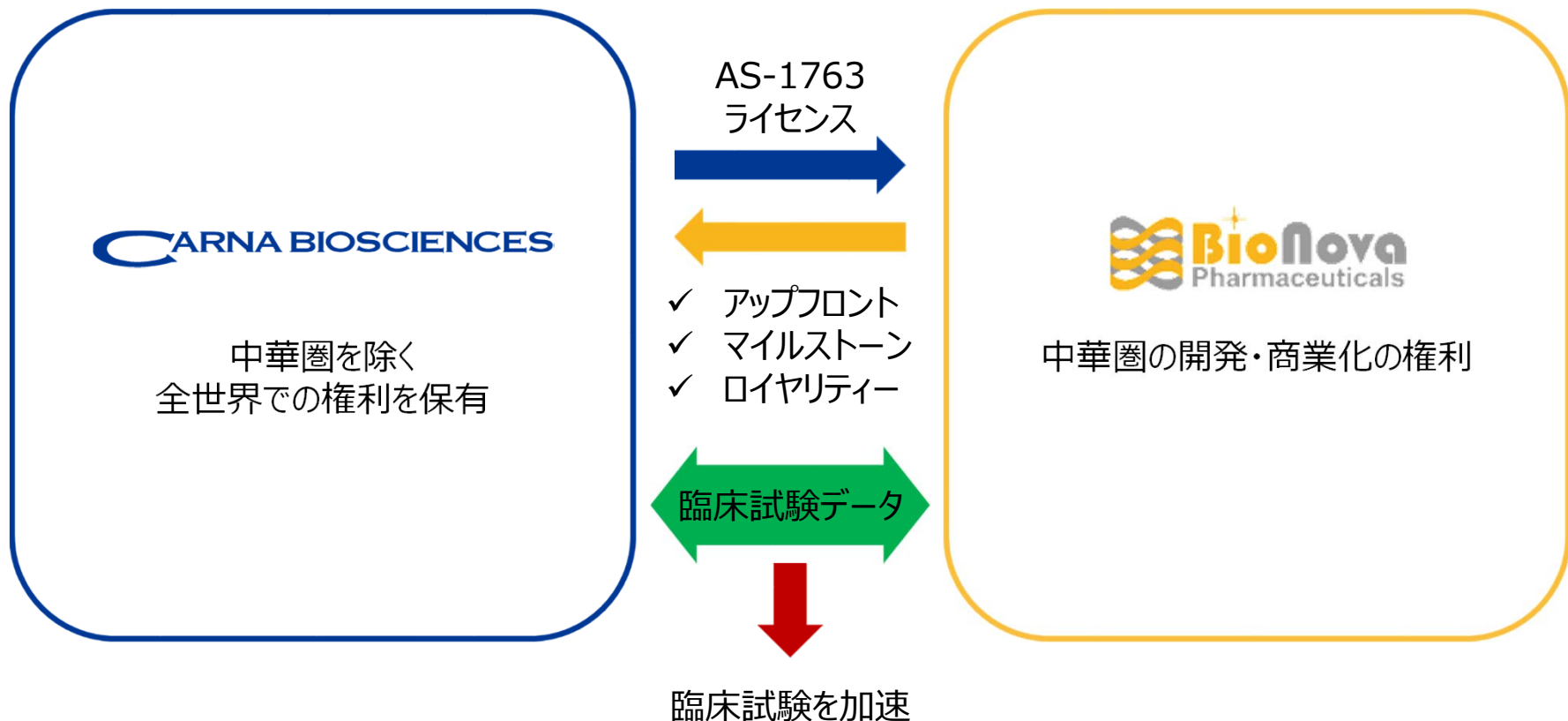
- ✓ 2020年中のCTA（欧州における臨床試験許認可申請）を目指し、前臨床試験を実施しています。
- ✓ ほぼすべての前臨床試験が終了し、治験に用いる製剤の準備を進めています。
- ✓ 中華圏における開発・商業化の権利を中国バイオバ・ファーマシューティカルズにライセンスしており、中国で治験を実施することで臨床試験を加速します。

AS-1763 : バイオノバ社と中華圏における ライセンス契約を締結

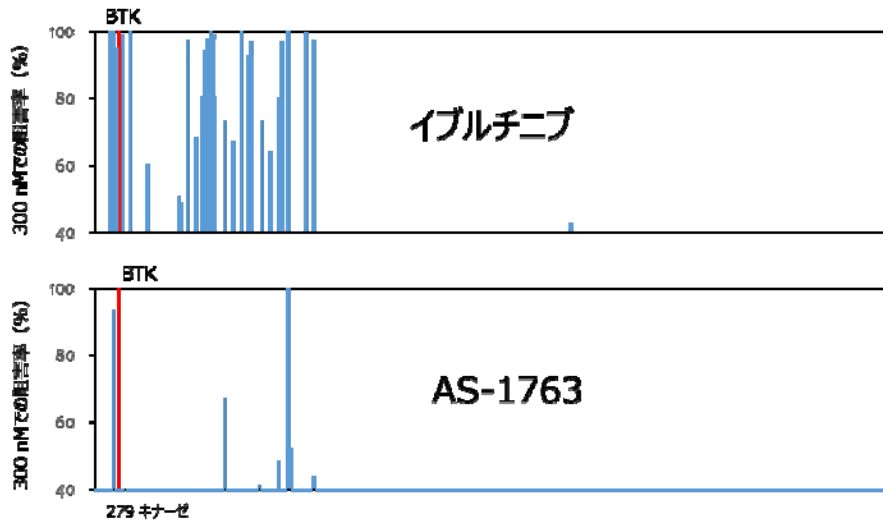


次世代型BTK阻害剤AS-1763の中華圏における開発・商業化の権利を、中国バイオノバ・ファーマシューティカルズに導出

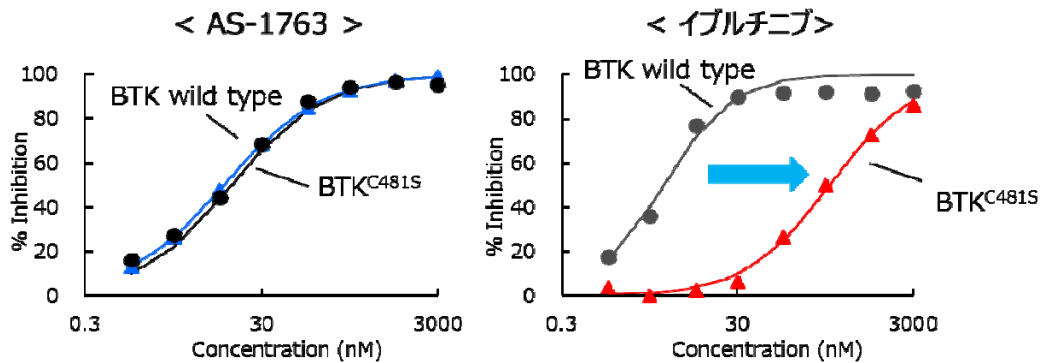
- 契約金額 契約一時金（受領済み）のほか、開発状況や上市などに応じたマイルストーン最大で約205百万ドル（約215億円）
- ロイヤリティ 中華圏における上市後の売上高に応じた最大2桁の料率の段階的ロイヤリティ



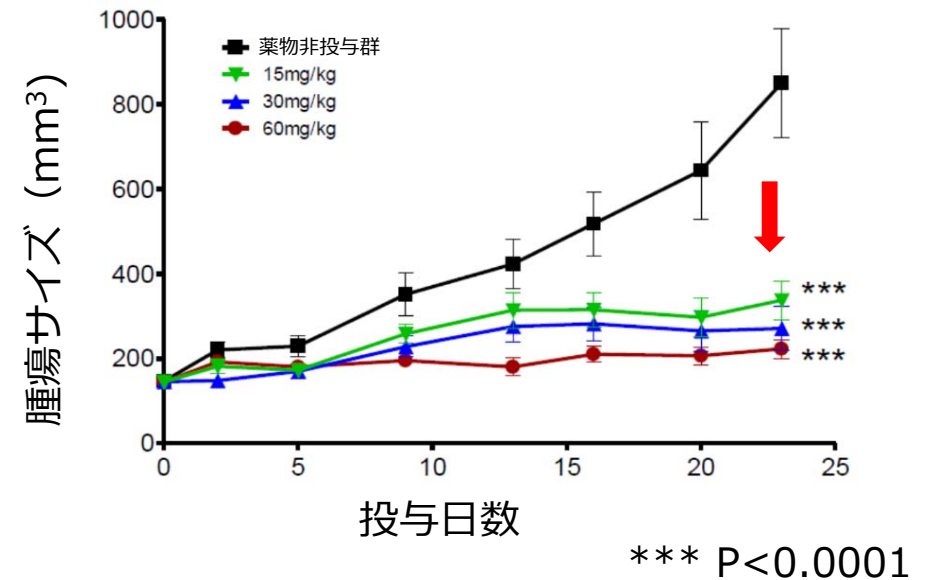
◆ 非常に高いキナーゼ選択性



◆ 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

■ 創薬支援事業の上期の売上は前年同期比58.3%増の526百万円

- ✓ 米国：上期の売上は、ギリアド社向けおよび新興バイオベンチャー向けの寄与などにより前年同期比130.6%増となりました。第2四半期には、新型コロナウイルス感染拡大により製薬企業等が研究所を閉鎖するなどの対策を取っていたことにより、一部の顧客からの受注に影響がみられました。
- ✓ 国内：大手製薬企業からのプロファイリングの受注および新規サービスとして注力しているNanoBRET™テクノロジーを用いたアッセイサービスが順調に拡大しました。これまでのところ新型コロナウイルス感染症の売上への影響は軽微にとどまっています。
- ✓ 欧州：新型コロナウイルス感染拡大の影響はあったものの、メガファーマからの新規受注もあり、ほぼ前年並みの売上となりました。
- ✓ その他地域：中国は3月に売上が回復したものの、第2四半期は前年の売上を下回りました。中国における当社製品のユーザーは、欧米の製薬会社から委託を受けて研究を行うCRO（開発業務受託機関）が多く、欧米での新型コロナウイルス感染拡大の影響を受けて活動が低下しているとみられます。

- 米国では新型コロナウイルスの感染拡大が続いていますが、ギリアド社向けの売上に加え、新興バイオベンチャーからの受注増により、売上計画の達成を目指します。
- 顧客訪問による販促活動は引き続き制限されると考えられ、メールやWeb会議、電話などによるきめ細やかなコンタクトにより、顧客ニーズの発掘を行います。
- ビオチン化キナーゼタンパク質、各種キナーゼタンパク質の変異体など新製品の開発を進め、引き続き品揃えの強化を行います。また、当社の販売リストにない特注のたんぱく質製造を積極的に行い、顧客満足度の向上につなげます。
- 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順調に拡大しており、サービス提供体制の強化を図ります。

2020年12月期第2四半期 業績概要

2020年12月期 第2四半期 連結経営成績の概況



(百万円)	2019年 第2四半期 実績	2020年 第2四半期 実績	前年同期比	2020年 通期計画	要因
売上高	2,460	579	△1,881 △76.4%	1,036	<ul style="list-style-type: none"> 創薬支援事業が米国で伸長 Q1に導出に伴う契約一時金を受領 米ギリアド社から契約一時金21億円を受領した前年同期との比較では減収
営業損益	1,451	△ 375	△1,826	△1,779	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発への投資 前年比で契約一時金収入が減少
経常損益	1,446	△ 380	△1,827	△1,794	
当期純損益	1,195	△ 397	△1,593	△1,822	
研究開発費	504	615	+111 +22.1%	2,040	<ul style="list-style-type: none"> 前臨床試験・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) 「営業損益」「経常損益」「当期純損益」はそれぞれ損失を計上しているため、前年同期増減率を表示していません。

(注3) 2020年12月期計画値は、2020年2月7日公表値です。

2020年12月期 第2四半期 事業別業績の概況



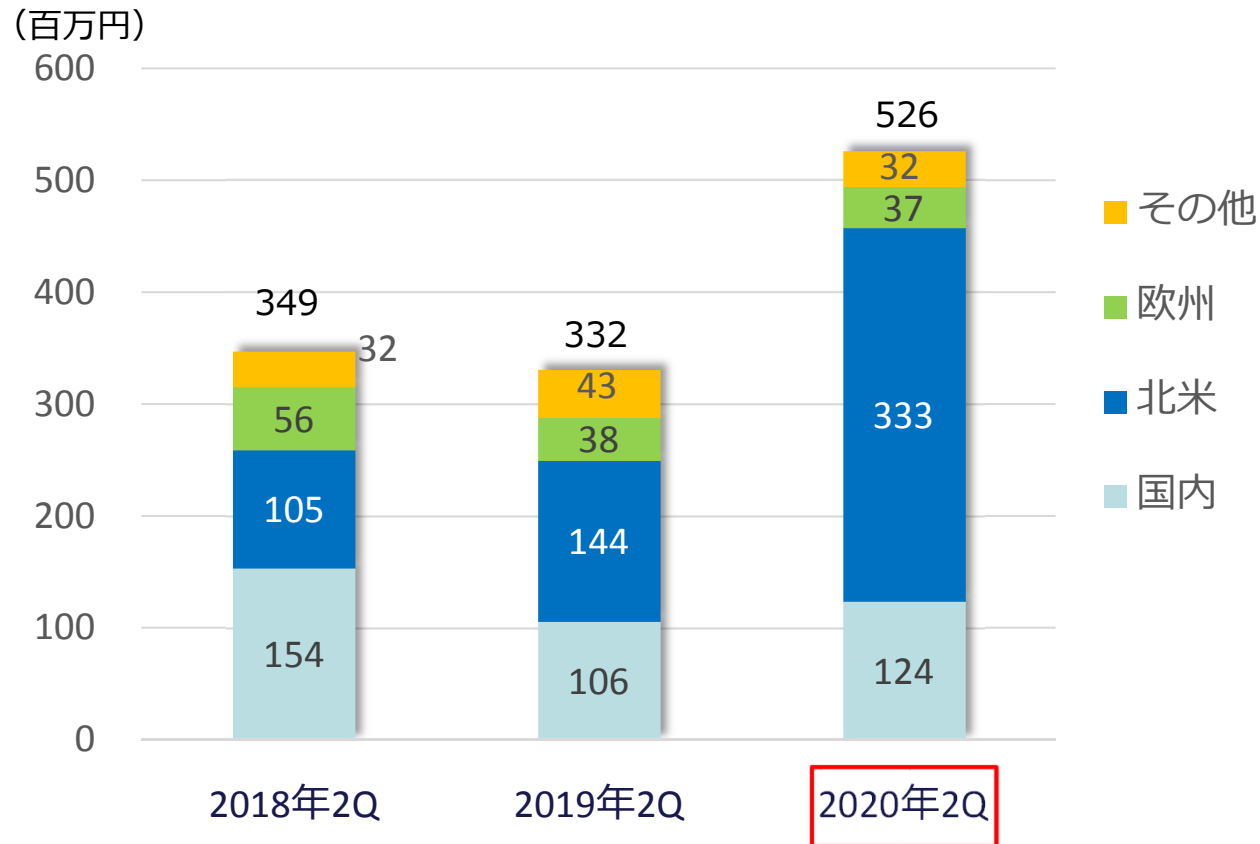
(百万円)	2019年 第2四半期 実績	2020年 第2四半期 実績	前年比	2020年 通期計画	進捗率	要因
連結売上高	2,460	579	△1,881 △76.4%	1,036	55.9%	
創薬支援	332	526	+193 +58.3%	1,036	50.8%	米国で伸長
創薬	2,128	53	△2,074 △97.5%	—	—	導出に伴いバイオバ社から契約一時金を受領。前年同期はギリアド社から契約一時金21億円を受領。
連結営業損益	1,451	△ 375	△1,826	△1,779	—	
創薬支援	15	237	+222 1412.6%	375	63.3%	自社製品・サービスの売上増により利益率が改善
創薬	1,435	△ 613	△2,048	△2,155	—	前臨床試験・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) 「営業損益」「経常損益」「当期純損益」はそれぞれ損失を計上しているため、対前年同期増減率および対通期計画比進捗率を表示していません。

(注3) 2020年12月期計画値は、2020年2月7日公表値です。

創薬支援事業 地域別累計売上高推移（連結）



- 国内：前年比16.6%増
プロファイリング受託、NanoBRETアッセイサービスが好調。
- 米国：前年比130.6%増
ギリアド社とのライセンス契約に関連した売上が寄与して伸長。新興バイオベンチャー向けも好調。
- 欧州：前年比3.5%減
キナーゼタンパク質は前年並みの売上だったものの、アッセイ開発が減収。
- その他：前年比25.7%減
中国向けの売上は3月に一旦回復したものの、Q2に入り再び低調に。前年同期に好調だった韓国向けの売上減少もあり、その他地域全体で減収。

バランスシート状況 (連結)



(単位：百万円)

	2019年12月期	2020年12月期 第2四半期末	増減額	増減理由
流動資産	5,274	5,222	△52	
現金及び預金	4,915	4,920	+5	
固定資産	101	126	+24	
資産合計	5,376	5,349	△27	
流動負債	1,055	439	△615	未払法人税等△106、未払金△187
固定負債	467	365	△102	長期借入金△88、社債△14
負債合計	1,523	805	△717	
純資産合計	3,853	4,543	+689	新株予約権の行使による資本金・資本剰余金の増加+1,097、当期純損失の計上△397
負債・純資産合計	5,376	5,349	△27	

自己資本比率	71.5%	84.9%
一株当たり純資産	329.8円	366.1円
PBR(株価純資産倍率)	6.4倍	4.2倍
(参考) 当社株価	2,123円	1,540円

(注) 当社株価:各期末終値

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

■ 資金調達の状況

回号	行使状況 (2020年7月末まで)
第18回新株予約権	累計行使株式数 1,195,000株 (発行総数の73.5%) 累計行使価額 2,173百万円

- ✓ 2020年6月末の現金及び預金は4,920百万円であり、研究開発を計画どおり進めるための十分な資金を保有しています。

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。