

2020年12月期 第3四半期決算説明資料

カルナバイオサイエンス株式会社



証券コード : 4572

<創薬事業>

■ 当社初のファースト・イン・ヒューマン（FIH：ヒト初回投与）試験を開始

- BTK阻害剤AS-0871の第I相臨床試験において被験者への投与を開始しました。（8月）
 - ➡ クリニカル・ステージ・カンパニーとして、さらにバリューアップを目指します。

<創薬支援事業>

■ 第3四半期までの売上は、2020年の通期計画に対して順調に進捗（進捗率76%）

- コロナ渦の影響を受けつつも、様々な施策により影響を最小限にとどめることができました。

□ 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。

2020年12月期第3四半期 業績概要

2020年12月期 第3四半期 連結経営成績の概況



(百万円)	2019年 第3四半期 実績	2020年 第3四半期 実績	前年同期比	2020年 通期計画	要因
売上高	2,862	847	△2,014 △70.4%	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	1,357	△ 615	△1,972	△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	1,346	△ 625	△1,971	△1,794	
当期純損益	1,113	△ 649	△1,762	△1,822	
研究開発費	813	941	+128 +15.8%	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3四半期 事業別業績の概況



(百万円)	2019年 第3四半期 実績	2020年 第3四半期 実績	前年比	2020年 通期計画	進捗率	要因
連結売上高	2,862	847	△2,014 △70.4%	1,036	81.8%	
創薬支援	734	794	+60 +8.2%	1,036	76.7%	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	1,357	△ 615	△1,972	△1,779	—	
創薬支援	257	347	+90 35.2%	375	92.5%	自社製品・サービスの売上増により利益率が改善
創薬	1,099	△ 963	△2,063	△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。

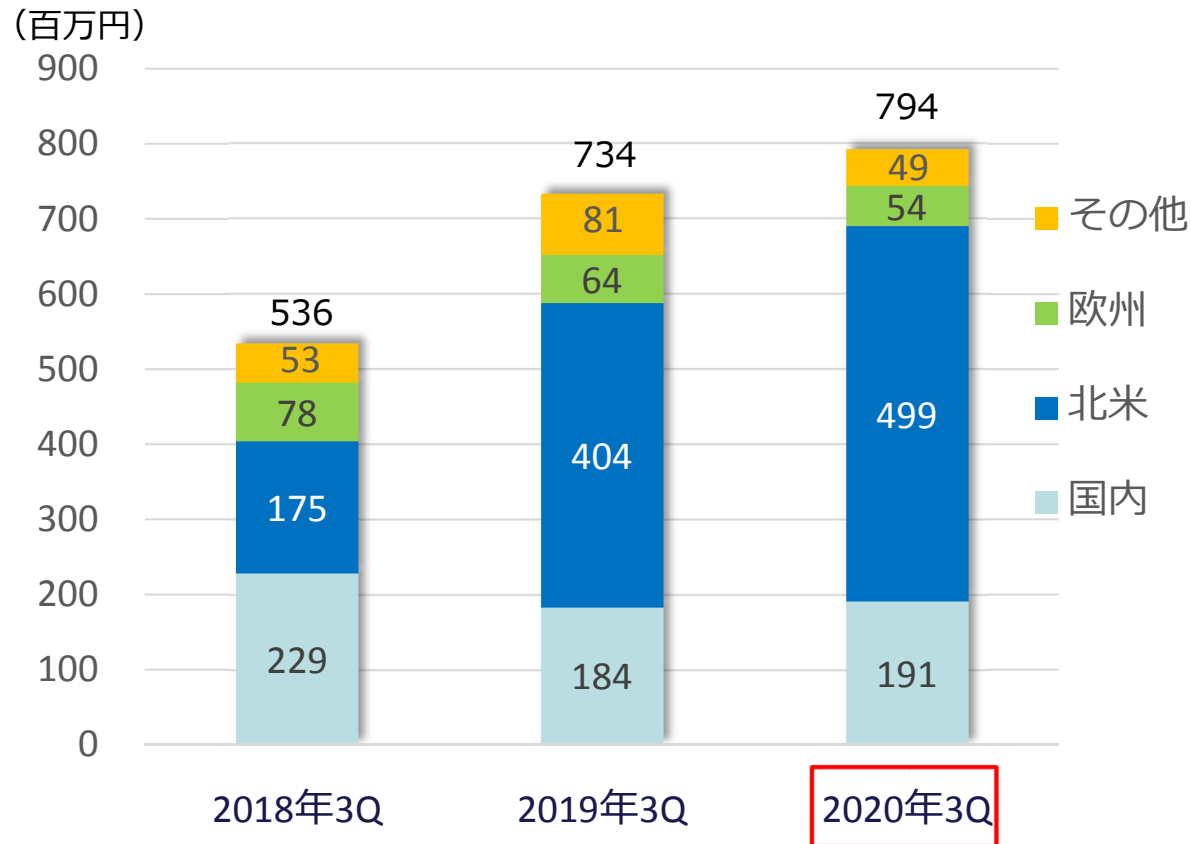
(注2) 「営業損益」「経常損益」「当期純損益」はそれぞれ損失を計上しているため、対前年同期増減率および対通期計画比進捗率を表示していません。

(注3) 2020年12月期計画値は、2020年2月7日公表値です。

2020年12月期 第3四半期 創薬支援事業売上高推移



創薬支援事業 地域別累計売上高推移（連結）



- 国内：前年比3.6%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23.6%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15.3%減
キナーゼタンパク質、アッセイ開発が減収。
- その他：前年比39.0%減
非常に好調だった昨年度の反動もあり、上期に引き続き中国向けが低調。

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3四半期末	増減額	増減理由
流動資産	5,274	5,113	△161	
現金及び預金	4,915	4,749	△165	
固定資産	101	114	+12	
資産合計	5,376	5,227	△148	
流動負債	1,055	624	△430	未払法人税等△120、未払金△126
固定負債	467	313	△154	長期借入金△126、社債△28
負債合計	1,523	938	△585	
純資産合計	3,853	4,289	+436	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△649
負債・純資産合計	5,376	5,227	△148	

自己資本比率	71.5%	82.0%
一株当たり純資産	329.8円	345.6円
PBR(株価純資産倍率)	6.4倍	4.3倍
(参考) 当社株価	2,123円	1,500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10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%） 行使による調達額 2,173百万円

- ✓ 2020年9月末の現金及び預金は4,749百万円であり、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。

創藥事業

<がん領域>

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			自社
低分子	キナーゼ	がん免疫			
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫			自社 /  (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	CDK1	がん			自社

<がん以外の疾患領域>

化合物	標的	対象疾患	探索・前臨床	臨床	開発パートナー
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			自社
低分子	N/A	マラリア			自社
低分子	STING	炎症性免疫疾患			自社

* 上記以外にも次世代パイプラインの構築を目的として探索研究を複数実施しています。

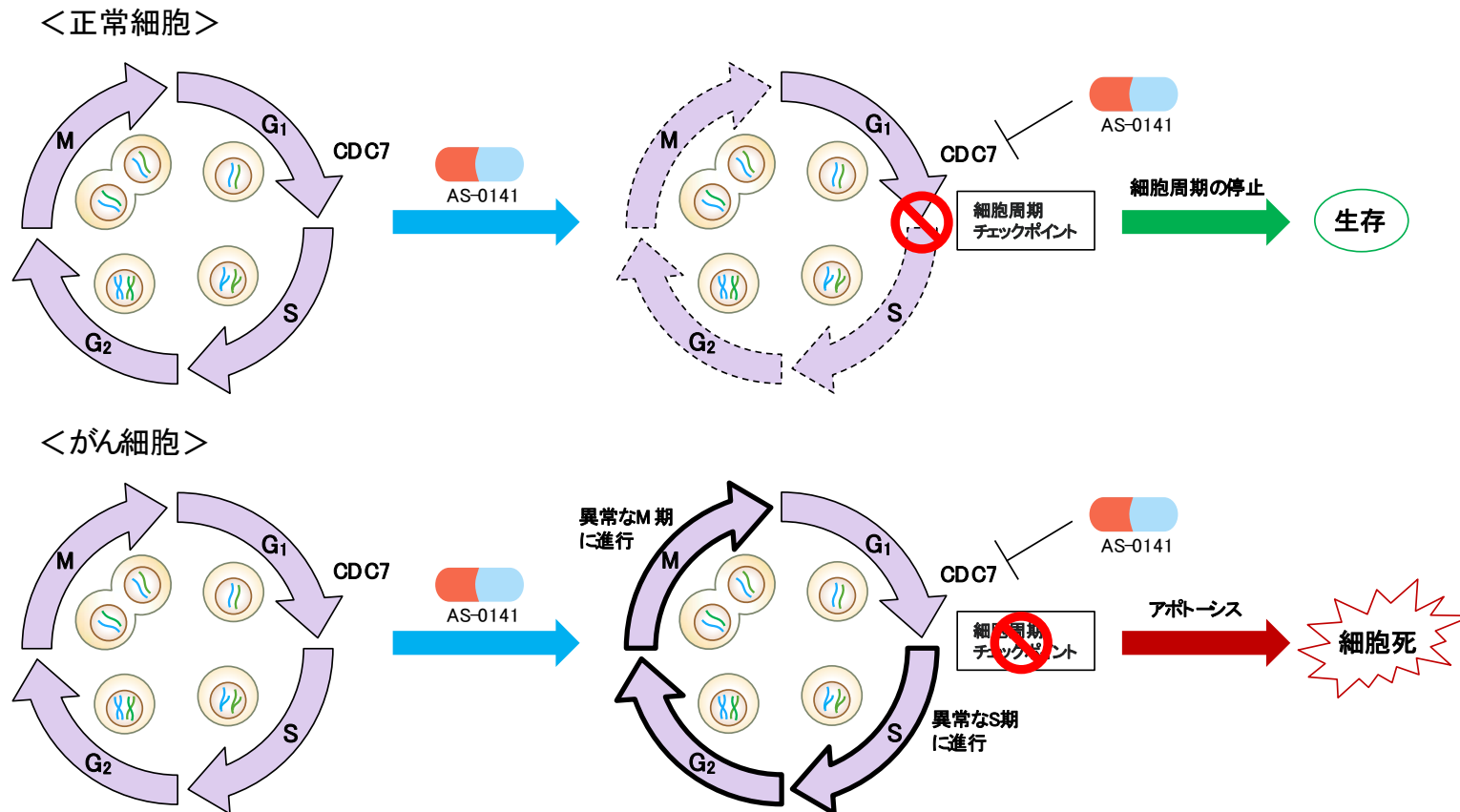
AS-0141 : がんを対象に開発

- | | |
|---|---|
| <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● 日本国内での治験を準備中（2021年上半期） |
|---|---|

- ✓ 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mometinib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、治験薬等の移管がほぼ完了しました。
- ✓ 米国での新型コロナウイルス感染状況を考慮し、日本での治験実施を準備中です。
- ✓ 先行品の臨床試験成績および科学的エビデンスに基づき、より成功確度の高い新たな開発戦略を策定しています。

■ CDC7キナーゼ阻害剤

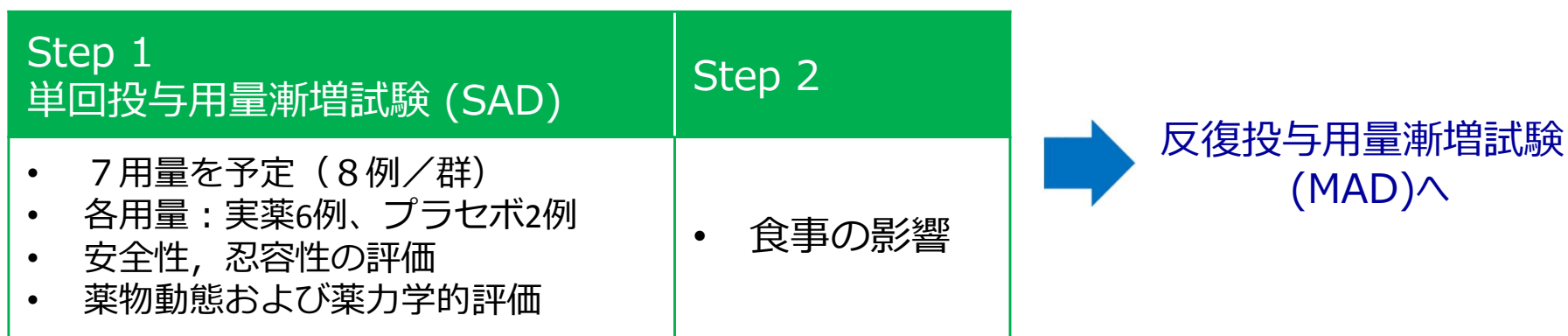
CDC7 (cell division cycle 7) は、セリン/スレオニンキナーゼの1種であり、細胞周期において染色体複製開始の制御に重要な役割をしています。がん細胞では、細胞周期の制御に異常をきたしているため、CDC7を阻害すると、不完全なDNA複製が引き金となって、染色体の不安定化を引き起こし、がん細胞に細胞死を誘導します。一方で、正常細胞は、細胞周期の制御が正常であるため、CDC7活性が阻害されても細胞は死ぬことはなく、この点からCDC7阻害剤は非常に副作用の少ない新しい治療薬になると期待されています。近年、様々ながんでCDC7が過剰発現していることが報告されており、CDC7阻害剤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



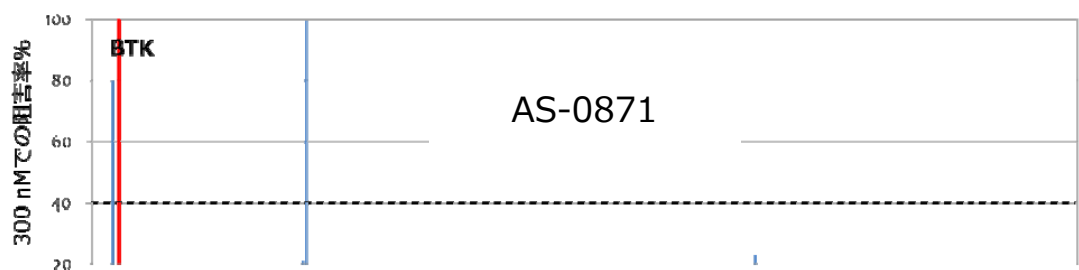
AS-0871 : 炎症性免疫疾患を対象に開発

- 低分子BTK阻害剤
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- 経口投与可能
- 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8月からフェーズ 1 試験開始

- ✓ オランダでのフェーズ 1 単回投与試験（経口）は新型コロナウイルス感染拡大の影響により延期されていましたが、2020年8月25日に投与を開始いたしました。
- ✓ 現在のところ、安全性に問題なく、順調に用量を漸増しております。
- ✓ 臨床試験実施施設において新型コロナ感染拡大に関して万全な対策を講じながら慎重に試験を進めてまいります。



◆ 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

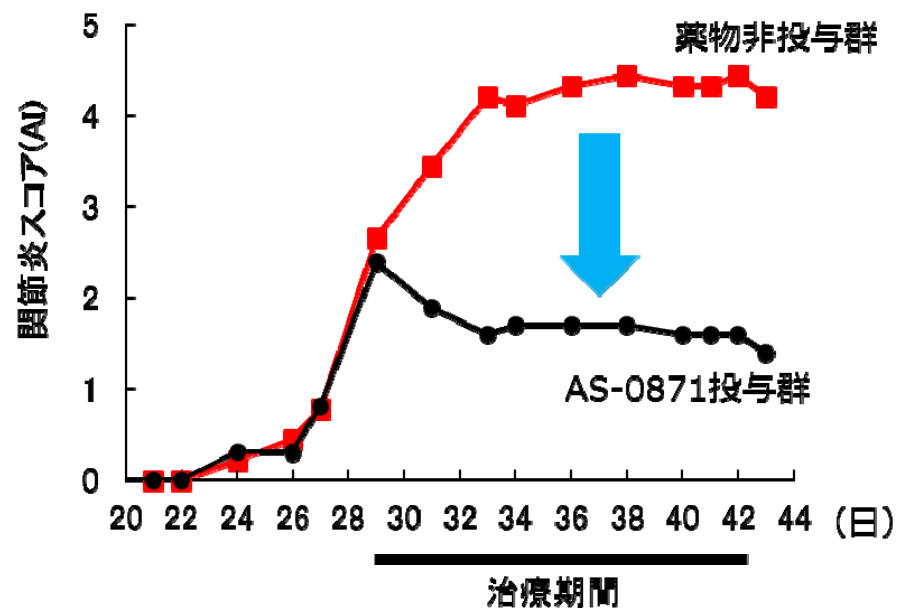


溶媒



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



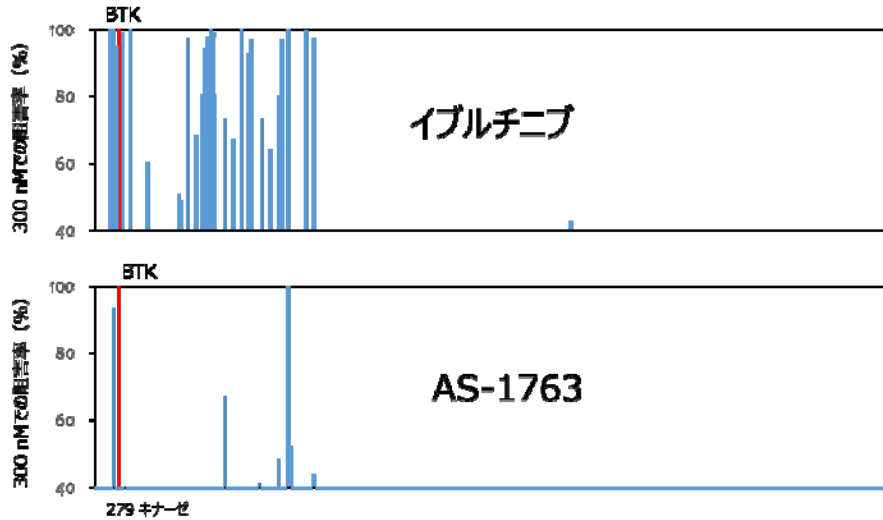
AS-1763 : 血液がんを対象に開発

- | | |
|---|--|
| <ul style="list-style-type: none">● 低分子化合物● 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● 経口投与可能 | <ul style="list-style-type: none">● BTK野生型およびC481S変異型細胞株を使ったリンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果● 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年のCTA申請に向けて準備中 |
|---|--|

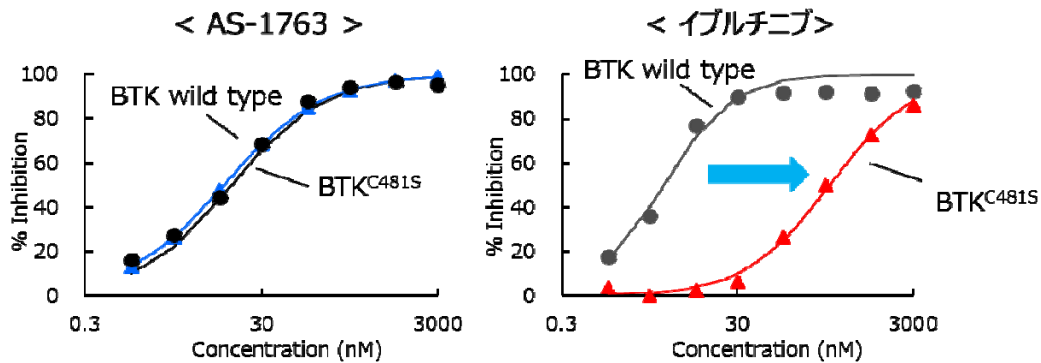
- ✓ フェーズ1実施に必要なGLP毒性試験が終了いたしました。
- ✓ 治験に用いるGMP製剤の準備を進めています。
- ✓ 2020年中のCTA（欧州における臨床試験許認可申請）を目指し、必要文書の作成を行っています。
- ✓ 中華圏における開発・商業化の権利をライセンスしたバイオバ・ファーマシューティカルズによる中国で治験データを活用し、グローバルでの臨床試験を加速します。

CTA : 欧州における臨床試験許認可申請
GLP : 医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施基準
GMP : 医薬品等の製造管理及び品質管理の基準

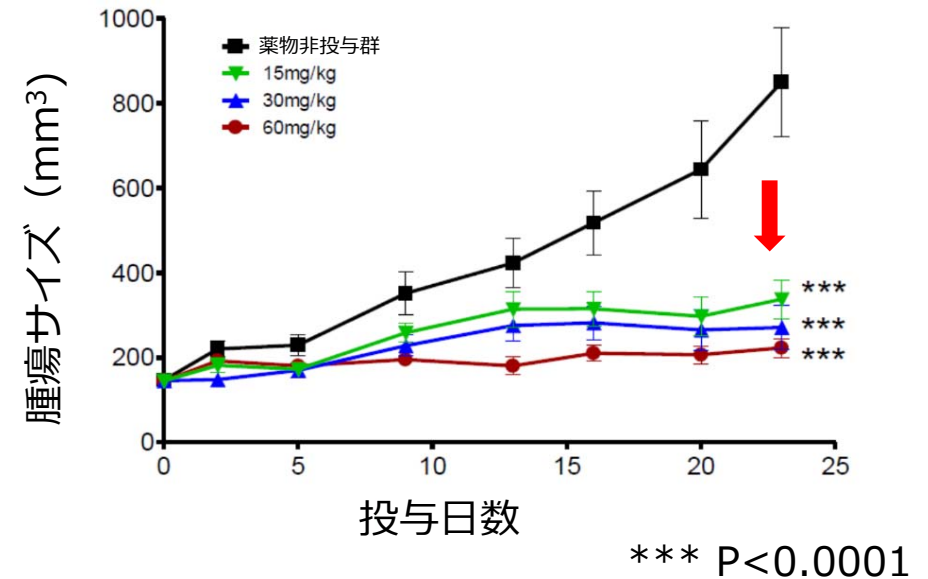
◆ 非常に高いキナーゼ選択性



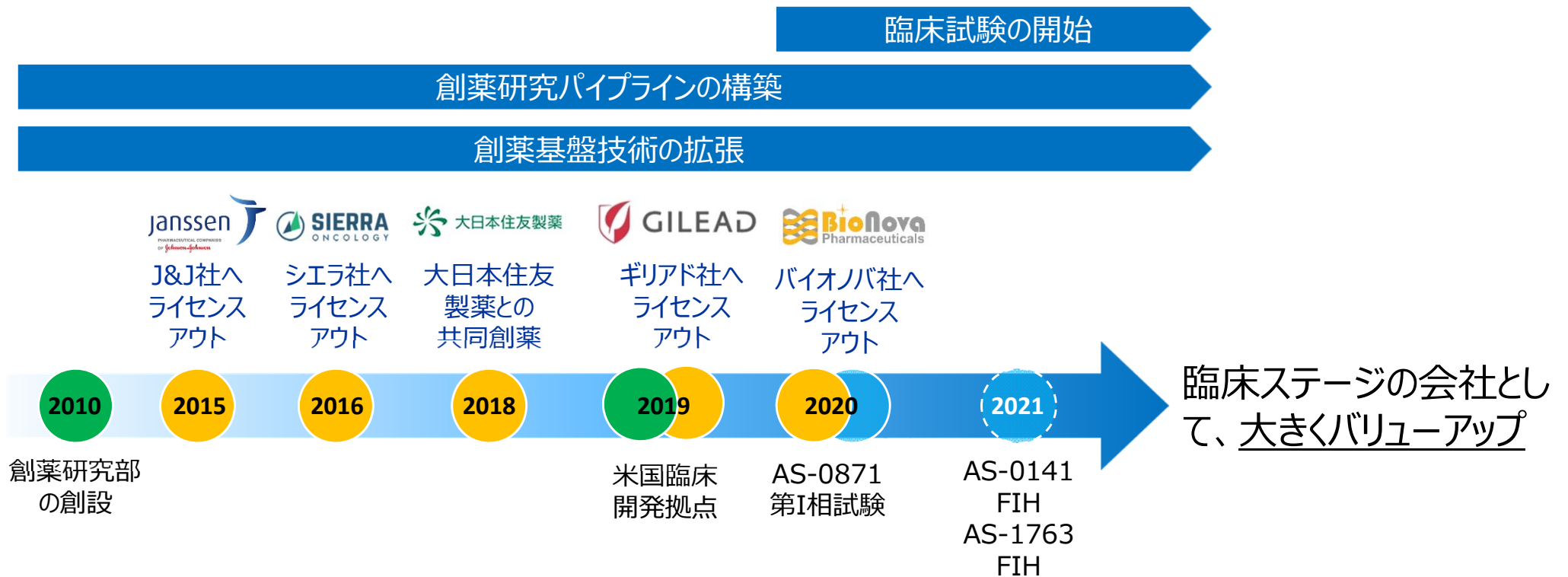
◆ BTK変異体に対しても高活性



◆ 血液がんモデルにおける高い抗腫瘍効果



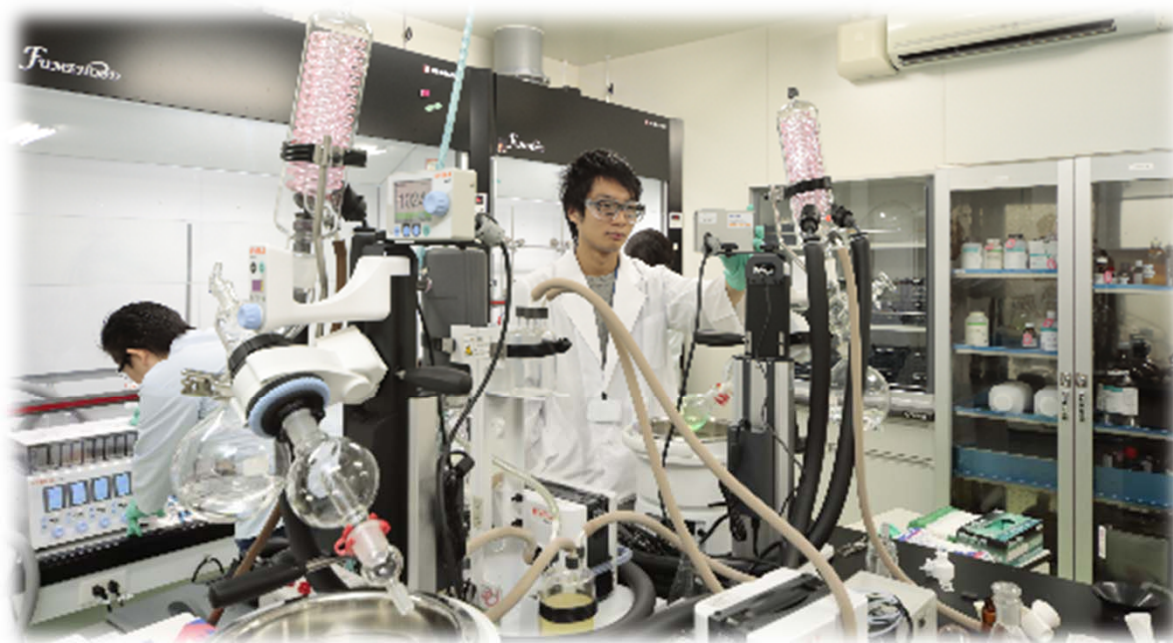
当社が築いてきたキナーゼ創薬基盤技術を活用し、病に苦しむ全世界の患者さんに貢献できる革新的医薬品の研究開発を進めています



- ◆ 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、CDC7阻害剤AS-0141の前臨床・臨床試験を加速するために先行投資の実施
- ◆ 複数パイプラインの臨床試験を進めるための体制強化

創薬事業

- ✓ ゼロから医薬品化合物を創製できる高い技術力
- ✓ 複数パイプラインの製薬企業への導出実績による創薬力の裏付け
- ✓ グローバルファーマ出身者を含む製薬企業経験者による少数精鋭の研究部隊



日本のアカデミアが保有する
世界トップレベルの基礎研究力



カルナバイオサイエンスの高い創薬力

- 創薬シーズ
- 創薬技術
- アンメット・メディカル・ニーズ
- 疾患メカニズム解明
- バイオマーカー



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、BioNova Pharmaceuticalsと、ライセンスおよび共同研究契約を締結しています。



創薬支援事業

- 創薬支援事業の第3四半期累計（1～9月）の売上は前年同期比8.2%増の794百万円
 - ✓ 米国：新型コロナウイルス感染症対策で企業活動が低下していた影響が一部あったものの、第3四半期累計の売上は、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23.6%増となりました。
 - ✓ 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。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り、第3四半期累計の売上は前年同期比3.6%増となりました。
 - ✓ 欧州：第2四半期までは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。第3四半期は前年同期の大型受注の反動減があり、第3四半期累計の売上は前年同期比15.3%減となりました。
 - ✓ その他地域：第3四半期累計の売上は前年同期比39%減となりました。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。

以下のような対応を実施することで本年度の売上計画の達成を目指します。

- 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、売上拡大を目指します。
- 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。
- 米国プロメガ社よりライセンスを受けた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。

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。