

## 中期経営計画

(平成25年12月期～平成27年12月期)

平成25年2月8日

上場会社名 カルナバイオサイエンス株式会社 (コード番号：4572 JQグロース)  
(URL <http://www.carnabio.com/>)

問合せ先 代表取締役社長 吉野 公一郎  
取締役経営管理本部長 相川 法男

TEL：(078) 302 - 7075

### 1. 中期経営計画の基本方針 (平成25年12月期～平成27年12月期)

#### (1) 基本方針

- 1) 平成25年12月期営業損益の黒字化の達成を目指す
- 2) 平成25年4月に創業10年を迎え、第二創業と位置づけ、新たな飛躍を目指す

#### (2) セグメント別基本方針

##### 1) 創薬事業

- ①アンメット・メディカル・ニーズが高い疾患領域、特にガン領域への研究リソースの選択と集中
- ②当社研究テーマの大手製薬企業等への早期ライセンスアウト
- ③当社研究テーマの臨床試験段階への早期ステージアップ
- ④新規創薬研究テーマに係る化合物の早期最適化

##### 2) 創薬支援事業

- ①キナーゼ阻害剤に係る創薬支援ビジネスの拡大 (売上高、販売シェア)
- ②業務改革によるコストダウンの推進及び利益率の向上
- ③セルベースアッセイ等に代表される当社オンリーワン製品、サービスの品揃えの拡大

### 2. 中期経営計画の前提条件及び事業環境の分析

#### 1) 前事業年度の総括及び当社グループを取り巻く事業環境の分析

平成24年12月期において、欧州の財政危機問題は落ち着きを示し、米国の住宅市場や雇用情勢は緩やかな回復基調にあるものの、いまだ本格的な回復とはいえない中、中国の経済成長の鈍化が鮮明となる等、先行き不透明な状況で推移しました。2010年問題という大型医薬品（ブロックバスター）の特許切れが大手製薬企業の収益を圧迫する見通しにより、大手製薬企業における世界的な規模での研究所の統廃合が着実に進行するなかで、新規医薬候補品を当社などのバイオベンチャーから導入（ライセンスイン）する環境が鮮明になってまいりました。

平成25年12月期においては、世界経済は引き続き不透明な状況が継続するものの、円安基調の為替相場やデフレ脱却の期待感などから国内経済の好循環が想定されます。当社グループが属する製薬業界においては、引き続き大型医薬品の特許切れに伴う大手製薬企業の収益圧迫懸念から、新規医薬候補品の獲得競争は激しさを増すものと予想されます。特に、医療の進歩や画期的な新薬が次々と世の中に送り出されているなかで、未だ有効な治療法が確立されていない疾患における「アンメット・メディカル・ニーズ」は非常に高く、効果的な治療方法に対する期待は、ますます大きくなってきております。

当社グループの創薬事業及び創薬支援事業は、体内の特定の分子のみを標的とする分子標的薬

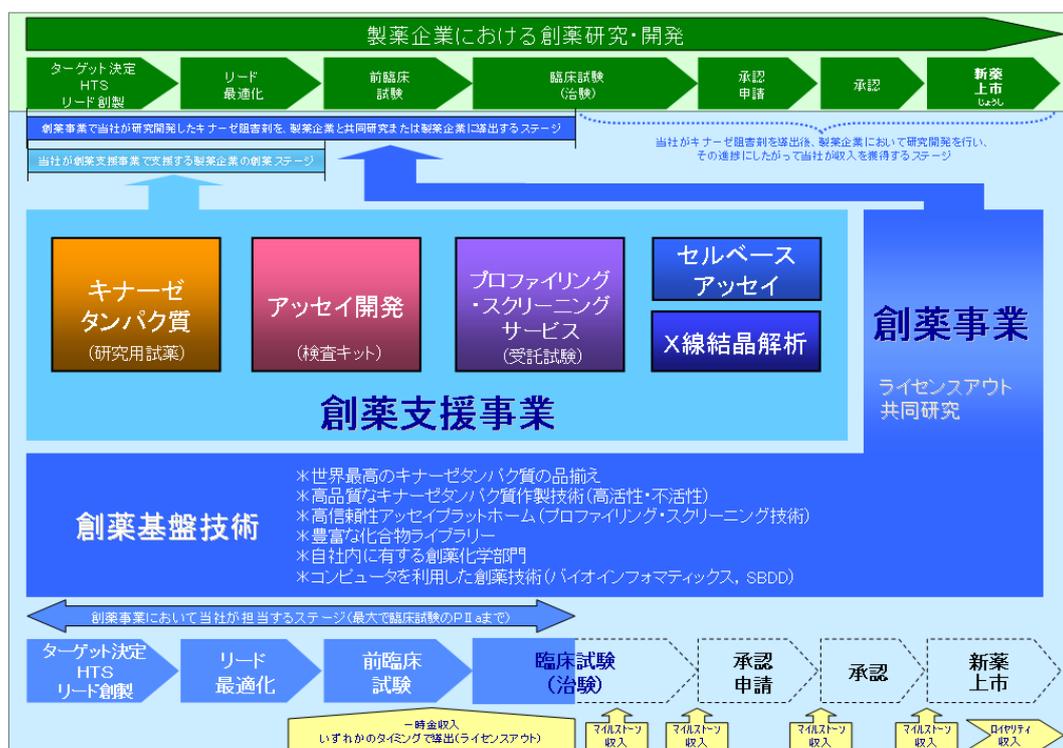
本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

のうちキナーゼという酵素の異常な活性を阻害するキナーゼ阻害剤を事業領域としており、当該事業領域における新薬創製に係る研究開発は依然活発な様相を呈しています。近年の分子標的薬の研究開発の進展により、適応疾患は従来のガン領域中心から、免疫炎症疾患や神経変性疾患などに拡大しているとともに、新薬研究が最も盛んな北米において、メガファーマと呼ばれる大手製薬企業が研究所の統廃合を実施してきた中で、オープンイノベーションの研究環境が促進され、創薬研究の担い手がバイオベンチャーに移行しつつあると考えられます。

当社の創薬事業においては、このようなオープンイノベーションの事業環境に後押しされ、当社研究テーマの導出（ライセンスアウト）についても研究の初期段階（化合物の最適化から前臨床段階）での導出を可能とする状況となって表れております。さらに当社の創薬支援事業においては、特に北米の顧客層がメガファーマからバイオベンチャーに移行していること等に象徴されており、平成24年12月期の北米での創薬支援事業売上が低迷した主な要因としてこの環境の変化を捉え、混乱した販売ネットワークの再構築を図ってまいりました。

当社グループは、このような事業環境のなかで、キナーゼ阻害剤に係る当社ビジネスの拡大を図ってまいります。

## 2) 当社グループのビジネスモデル



当社グループは、創薬事業ならびに創薬支援事業という2つの事業領域を有しており、ヒトの体内に518種類あるといわれるキナーゼタンパク質という酵素が遺伝子の変異等により異常な活性を示すことによって、ガン、免疫炎症疾患（リウマチ等）、神経変性疾患（アルツハイマー病等）などの疾患を引き起こすことが知られており、このキナーゼの異常な活性を阻害することで病態の改善を図るキナーゼ阻害剤の研究領域において、創薬研究及び創薬支援ビジネスを展開しております。

当社は2003年4月の創業以来、このキナーゼ阻害剤に係る基盤技術である「創薬基盤技術」を拡充させてまいりました。細胞内からキナーゼを高品質に抽出する技術をはじめ、この取り出した試薬としてのキナーゼと阻害剤との阻害活性の測定（アッセイ）技術、自社で有する4万にのぼる低分子化合物ライブラリーや化合物合成技術など、キナーゼ阻害剤における画期的な新薬を創製するためのプラットフォーム及び研究者を有しております。

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

### ①創薬事業

これらの当社創薬基盤技術を駆使し、創薬事業においては、キナーゼ阻害剤の創製研究を行い、その研究成果を大手製薬企業等に導出することで、導出時の一時金を獲得し、さらに導出先の大手製薬企業等での導出テーマに係る研究開発の進捗に伴うマイルストーン収入を獲得し、キナーゼ阻害剤の米国FDAやわが国の厚生労働省への承認申請を経て上市される新薬売上の一定割合をロイヤリティ収入として獲得するビジネスモデルを展開しています。

### ②創薬支援事業

創薬支援事業においては、当社の創薬基盤技術を用いて、他の製薬企業やバイオベンチャーならびに大学等の公的研究機関に対して、当社で作製したキナーゼタンパク質製品の販売、プロファイリング・スクリーニングサービスならびにセルベースアッセイサービス等の受託試験サービスの提供等を行っております。

## 3. 事業別経営方針

### 1) 創薬事業

当社は、アンメット・メディカル・ニーズと呼ばれる未だ有効な治療方法が確立されていない疾患を中心に、特にガン、免疫炎症疾患、神経変性疾患を適応領域としたキナーゼ阻害剤の創製研究に取り組み、創薬研究力の強化と開発の迅速化を図り、画期的な新薬を一日でも早く世に送り出すことを目指してまいります。

#### ①創薬研究

創薬研究において、特にガン疾患を重点領域として、有望テーマへ研究リソースを重点的に投入し、創薬の成功確率の向上と研究期間の短縮に努めております。最適化研究で得られた化合物を迅速にステージアップさせるためには、詳細な薬理評価が重要となるため、多種にわたるガン細胞評価系、ガン化モデル動物評価などの薬理基盤強化に取り組んでおります。その重点疾患領域であるガン領域では、独立行政法人国立がん研究センター及びSBIバイオテック株式会社との共同研究において、ステージアップを目指して、高次評価を実施してまいりました。その結果、上記SBIバイオテック社との共同研究で見出されたCDC7/ASKキナーゼを強力に阻害する化合物が、ヒト腫瘍を用いた担癌動物モデルに対して有効であることを確認し、平成24年12月期において前臨床試験段階へのステージアップを達成いたしました。今後は、さらなる有効性の評価並びに安全性の評価を進め、早期の臨床試験開始を目指してまいります。独立行政法人国立がん研究センター（TNIKキナーゼ）の共同研究においても、独立行政法人医薬基盤研究所の補助金を有効に活用し、引き続き共同研究を進めてまいります。さらに、新たなキナーゼ標的として平成24年12月期において本格的に研究をスタートしたBTKプログラムは、前臨床候補化合物の選定段階に入っており、ステージアップへ向けてさらに強力に研究を推進していく予定です。

#### 研究テーマ

キナーゼ	対象疾患	研究パートナー	研究・事業ステージ			
			非臨床	臨床	承認申請	上市
TNIK	ガン	独立行政法人国立がん研究センター				
CDC7/ASK	ガン	SBIバイオテック株式会社				
BTK	免疫炎症疾患 血液ガン	—				
DYRK1A	神経変性疾患	株式会社キノファーマ				

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

さらに、ガン以外の疾患領域につきましては、戦略的アライアンスを積極的に推進する方針のもと、株式会社キノファーマ（DYRK1Aキナーゼ）との共同研究を継続するとともに、独立行政法人科学技術振興機構の研究成果最適展開支援事業「A-STEP」の「平成23年度第2回A-STEP フィージビリティスタディ シーズ顕在化タイプ」の補助金事業として採択された北里大学北里生命科学研究所との共同研究である新規マラリア治療薬のテーマにおいて、当社が保有する独自のキナーゼフォーカスライブラリのスクリーニング及びヒット化合物の構造展開を順調に実施しており、これら次世代の研究ターゲットの準備を着々と進めており、早期に収益化していく方針であります。

## ②導出活動

創業事業における研究テーマについて、上述のように大手製薬企業においてオープンイノベーション化が促進されてきた創薬研究の状況において、当社は臨床試験の初期段階（フェーズⅡa）までの導出（ライセンスアウト）を基本方針として堅持してまいります。導出契約においては、研究開発のステージが高くなるほど高収益が見込まれますが、その反面、導出に至るまでに必要な研究開発費は多額になります。反対に、早期に導出することを想定した場合、試験データが高次レベルではないため、収益はその分低くなる可能性があります。これらを踏まえ、早期導出プログラムと自社開発プログラム推進の最適化を図り、前臨床試験及び臨床試験へのステージアップだけでなく、早期に大手製薬企業等への導出も視野に入れ、当社にとっての最大価値を生み出すべく、戦略的に大手製薬企業等との導出交渉に取り組んでまいります。

## 2) 創薬支援事業

当社グループの創薬支援事業は、当社の創薬基盤技術にもとづくキナーゼ関連製品及びサービスの高い品質を強みとし、顧客からの技術的支援を求める声に応える学術サポートを通じて、世界的なシェアを拡大することが基本方針であります。販売地域別には、特に、北米でのシェア拡大が中長期的な経営課題であり、製品、サービスの観点からは、オンリーワンの技術に基づく顧客訴求力の高い製品、サービスの開発が重要であると認識しています。そのために、当社グループの販売ネットワークの整備に取り組むとともに、平成24年12月期より当社製品、サービスの柱とすべく事業化に取り組んできた各種セルベースアッセイサービスの拡充を図り、高機能製品であるピオチン化タンパク質や脂質キナーゼ等の顧客要望の高いキナーゼ製品群などの拡充に取り組んでまいります。さらに、安定的な収益確保の観点から、平成24年11月に小野薬品工業株式会社より受注した大規模キナーゼスクリーニングサービス等の大口受託ビジネスの獲得が重要であり、本事案を成功例として横展開を図ってまいります。

地域別の販売戦略の基本方針は、以下の通りです。

### a. 国内地域

学術サポートの強化により顧客満足度の向上を図り、既存顧客とのパイプをより強固にするなかで売上の拡大を目指します。さらに、平成24年7月よりビジネスを開始したRPPAサービスなどのセルベースアッセイサービスの売上拡大に取り組んでまいります。

### b. 北米地域

在米子会社であるCarnaBio USAを拠点として、近年創薬研究の主要な推進力として台頭してきたバイオベンチャーを中心に、当社製品、サービスの売上拡大に努めてまいります。さらに当社の顧客はガンを研究テーマとする研究者の比重が高かったため、他の疾患領域の研究者へも拡販を図り売上の拡大を目指します。

### c. 欧州地域

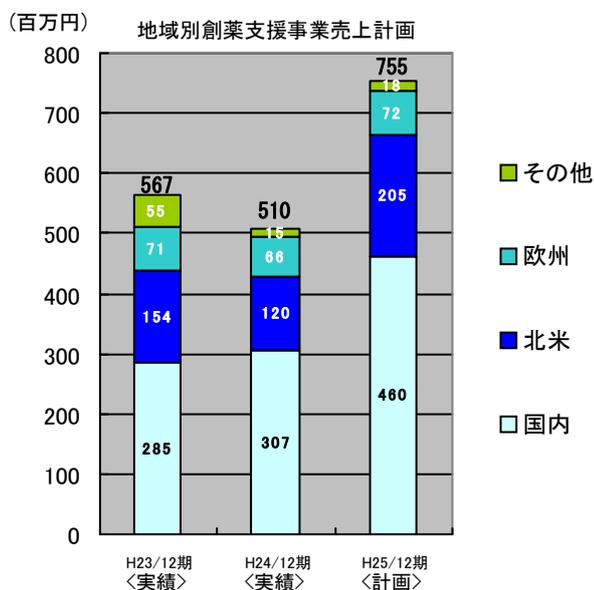
当社の販売代理人であるデンマークのキナーゼロジスティクス社に加え、平成24年11月に販売代理人として契約締結したオランダのNTRC社との関係強化に取り組み、同社の提供す

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

る44種類のガン細胞パネルを用いたセルベースアッセイサービスと当社プロファイリングサービスやRPPAサービスの技術的な相互補完関係による利点をNTRC社のネットワークを通じ認知度の向上を図るなかで、拡販に取り組んでまいります。

d. その他地域

中国、インドを中心とするアジア地域の創薬研究の高まりは顕著であるものの、当社製品の売上拡大につながっていないため、売上拡大を目指し代理店との関係強化に取り組んでまいります。



4. 財務戦略及び設備投資計画

1) 財務戦略

当社グループは創薬事業と創薬支援事業という2つの事業を展開しております。創薬事業におけるキナーゼ阻害剤に係る新薬の創製研究においては、コスト削減を継続的に推進しているものの多額の研究開発費が必要となるため、創薬支援事業において獲得したキャッシュフローをその研究開発資金として充当することを財務戦略の基本としております。創薬事業は当社研究テーマの導出（ライセンスアウト）によりキャッシュフローを獲得するビジネスモデルであり、財務体質の安定化には創薬事業における大手製薬企業等へのライセンスアウトが不可欠と認識しております。ただし、経営戦略上、財務体質の強化や中長期的な成長資金の追加確保等を目的とした資金調達必要性が生じた場合には、事業の進捗状況や外部環境を勘案し、必要に応じて最適な方法・タイミングで資金調達を実施することといたします。なお、現在のところ、直接金融による資金調達の計画はございません。

また、銀行等からの借入については、財務状況や借入金の返済状況等を総合的に勘案し、適宜実施することといたします。なお、現在のところ、間接金融による資金調達の計画はございません。

2) 設備投資計画

設備投資については、当面の研究開発、製造等に必要な設備の導入は概ね完了したことから、重要な設備投資は計画しておりません。

但し、新規製品、サービスの拡充等に必要な設備投資は、迅速かつ適切な判断により、柔軟に対応し講じてまいります。

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

## 5. 平成25年12月期の業績予想

(単位：百万円)

	売上高	営業利益	経常利益	当期純利益
全社	1,155	4	28	23
創薬支援事業	755	187		
創薬事業	400	△182		

### (補足説明)

#### 1) 当社グループの事業領域であるキナーゼタンパク質について

当社が創薬研究の対象としているキナーゼタンパク質とは、ヒトの細胞内に518種類あるといわれています。キナーゼは生命を維持するうえで重要な細胞内及び細胞間の情報伝達をつかさどる酵素(タンパク質で構成される分子)であり、リン酸化および脱リン酸化<sup>(\*)</sup>という化学反応により、活性がある状態と不活性な状態により、細胞内の情報伝達のオンオフを行い、細胞活動を制御しております。たとえば、ガンの異常な細胞増殖や血管新生、また関節リウマチ等の免疫炎症疾患やアルツハイマー病等の神経変性疾患等においては、キナーゼが過剰な情報伝達を行う状態(スイッチオン)が過剰となっており、このようなキナーゼの異常活性の状態を正常な状態に近づけることが病態の改善に有効であると考えられています。その有効な方法として、特定の異常な酵素の働きのみを抑えるキナーゼ阻害剤が多く、製薬企業等で研究開発されており、副作用がない画期的な飲み薬として、すでに多くの患者に利用されております。特に、診断薬による投与前の事前診断により、薬効が高く副作用の少ない薬として注目を集めております。

キナーゼは、上述の通り、細胞内及び細胞間における基本的な情報伝達に関与する酵素であるため、キナーゼ阻害の目的以外で研究開発された薬においても、本来必要なキナーゼの情報伝達を阻害してしまうことになる場合には薬としての副作用となります。当社グループがサービスとして提供しているプロファイリングサービス等のキナーゼ活性の阻害率評価は、さまざまな創薬における毒性試験の過程で必要となる必須の項目であることから、キナーゼ阻害剤の創薬研究ではない製薬企業の新薬研究部門でも必須の研究項目であります。

<sup>(\*)</sup>リン酸化とは、タンパク質にリン酸基(元素記号P)を付加することです。キナーゼにおいてシグナル伝達するスイッチオンの状態をいいます。脱リン酸化とは、リン酸基が外れ非活性の状態になることをいいます。

#### 2) 低分子の分子標的薬の社会的意義

上記の通り、キナーゼをターゲットとするキナーゼ阻害薬は、治療効果が高く、副作用が少ないと考えられており、分子標的薬<sup>(\*)</sup>の代表的な治療薬として、世界各国の大手製薬企業や研究機関等で研究開発が進められています。現在、医薬品として認可され販売されているキナーゼ阻害剤には、大きく分けて2種類があります。その一つが、注射により投与される抗体医薬であり、もう一つが、当社も創薬研究を行っている経口の低分子阻害剤(飲み薬)であります。近年、大手製薬企業においても抗体医薬の研究開発が活発になってきておりますが、バイオ医薬品<sup>(\*)</sup>として複雑な製造工程を有しており、薬価が高いものが多く、医療経済を圧迫する一因ともなっています。また、注射剤であることから、患者は投与を受けるために通院を要し、肉体的な負担が比較的大きい薬といえます。他方、低分子経口薬は、化学合成により比較的安価に製造されるため薬価が低く抑えることができるとともに、医師による処方により患者自身が任意の場所で飲み薬として服用できることから、開発途上国などを含む世界中の患者に広く提供可能な薬といえます。

<sup>(\*)</sup>分子標的薬とは、病気の原因となる特定の分子に対して、その分子の機能を抑制する薬であり、一般的に疾患の原因物質に対して選択的に効果を発揮することから副作用が少ないと考えられています。

<sup>(\*)</sup>バイオ医薬品とは、遺伝子工学等を利用し動物等の細胞で培養して製造される医薬品のことをいいます。

#### 3) 創薬とは

創薬とは、製薬企業等が新薬を研究・開発し、その有効性・安全性を確かめて医薬品として承

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

認申請を行い、国の製造販売承認を経て上市し、市販後調査を終了するまでの過程をいいます。当社グループの創薬研究はキナーゼをターゲットとした低分子化合物を創製する創薬であります。化学合成された低分子化合物群は評価し結果を確かめてみなければ研究の成否が判定できないため、研究が一瞬にして飛躍的に進捗することもあれば、予期せぬ課題により中断されることも考えられます。中断されることなく研究が継続されるということは、研究対象(テーマ)とする低分子化合物群について、将来の医薬品として継続的に費用を投入して研究開発していく判断を行ったことを意味し、当該テーマについて科学的に考察した場合の実現可能性、中長期的な収支から見た場合の経済的合理性を持っているとの判断を行ったということであり、中断すると判断した場合は、当該テーマに関して過去に投じた費用及びこれからかかる費用については、将来回収できないと判断したことを意味しますが、研究活動においては失敗も重要な知見であり、別のテーマでの知見の応用が可能な場合もあり、1テーマの研究の中断が企業の存続可能性に大きな影響を及ぼすかについては、個々のテーマの内容及び中断した時点の科学的知見の状況、会社の経済的状況によりその影響度が異なります。

#### 4) 創薬の研究ステージとは

##### 1. 非臨床ステージ

創薬のターゲットとなるキナーゼを決定し、多くの化合物の中から特定のキナーゼに対して阻害作用を持つ化合物をリード化合物として創出する「探索」段階、そのリード化合物をもとに改良を加えた化合物を合成し各種試験を繰り返し医薬品として可能性のある化合物を徐々に絞り込んでいく「最適化」段階、最適化段階を経て動物を使用し薬剤の効果、毒性、薬物動態等を詳細に調べる前臨床試験段階までを、非臨床ステージといいます。

##### 2. 臨床ステージ

前臨床試験で薬効と安全性が認められた薬剤は、実際にヒトに投与され、主作用と副作用が検討・評価されます。

第1相試験(フェーズⅠ)は、原則として同意を得た少数の健康な男性に薬剤を投与し、まず薬効よりも安全性や薬物の体内動態を確認します。

第2相試験は、前期(フェーズⅡa)及び後期(フェーズⅡb)に分かれ、前期では同意を得た少数の患者に薬剤を投与し、どのような病気や病態に効果があるかを調べます。当社ではここまでの何れかの段階までの研究開発を行い、製薬企業等へ導出する方針です。後期では、同意を得た少数の患者に薬剤を投与し、投与量や投与方法の違いによる効果の比較検討も行います。

第3相試験(フェーズⅢ)は、大規模臨床試験とも呼ばれ、数百人から数千人の患者に薬剤を投与し、既存薬と比較して薬剤の効能と副作用を詳細に検討します。

当社の創薬事業では、製薬企業等に導出した医薬候補化合物について、臨床ステージの進捗に応じてマイルストーン収入を獲得することを想定しています。

##### 3. 承認申請ステージ

米国ではFDA、わが国では厚生労働省という規制当局に対し、臨床試験の試験データを取りまとめ、製造販売承認申請を行うステージのことをいいます。承認されると医薬品として販売が可能となり、薬価が定められ保険適用となります。

当社の創薬事業では、承認申請ステージへの進展に応じてマイルストーン収入を獲得することを想定しています。

##### 4. 上市ステージ

医薬品が販売されているステージをいい、医薬品として販売後も市販後調査として医薬品の用法、用量等の詳細なデータが収集されます。

当社の創薬事業では、上市後において、当社が導出した医薬候補化合物を基に上市された医薬品の売上に応じてロイヤリティ収入を獲得することを想定しています。

以上

本開示資料は、投資者に対する情報提供を目的としの画等を記載したものであって、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。

また、当社は、事業計画に関する業績目標その他の事項の実現・達成等に関しその蓋然性を如何なる意味においても保証するものではなく、その実現・達成等に関して一切責任を負うものではありません。

本開示資料に記載されている将来に係わる一切の記述内容(事業計画に関する業績目標も含まれますがそれに限られません)は、現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、将来の経済環境の変化等を含む事業計画の前提条件に変動が生じた場合その他様々な要因の変化により、実業・業績等は影響をとれ、本開示資料と大きく異性があります。

本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。