

## 中期経営計画

(平成26年12月期～平成28年12月期)

平成26年2月7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、JASDAQ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26年12月期～平成28年12月期)

#### (1) 基本方針

- 1) 平成26年12月期営業損益の黒字化の達成を目指す
- 2) 研究開発資金の継続的調達 (第14回新株予約権等)

#### (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、特にガン及び免疫炎症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 キナーゼ阻害薬に係る創薬支援ビジネスの拡大
  - ・ 売上高、売上シェアの拡大
  - ・ コンタクト疾患領域の拡大 (ガン領域から炎症、中枢神経疾患領域へ)
  - ・ 新製品、サービスの開発
- 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
- ④ 株式会社ProbeX(連結子会社)によるGPCR阻害薬に係る創薬支援ビジネスの拡大

### 2. 中期経営計画の前提条件及び事業環境の分析

#### 1) 当社グループを取り巻く事業環境の分析

平成25年12月期における世界経済は、米国において財政問題による政府機関の閉鎖など不透明に推移したものの、堅調な民間需要の下支えにより回復基調で推移し、欧州でも地域外の需要の回復に伴い輸出が持ち直すなど、緩やかな回復傾向にあったものの、新興国において経済成長のペースが鈍化するなど、先行き不透明な状況で推移しました。わが国における経済状況は、政府と日銀が協調した金融緩和等により円安基調で為替相場が継続し、企業収益が改善傾向にあるなど、緩やかに景気回復の状況が広がってまいりました。

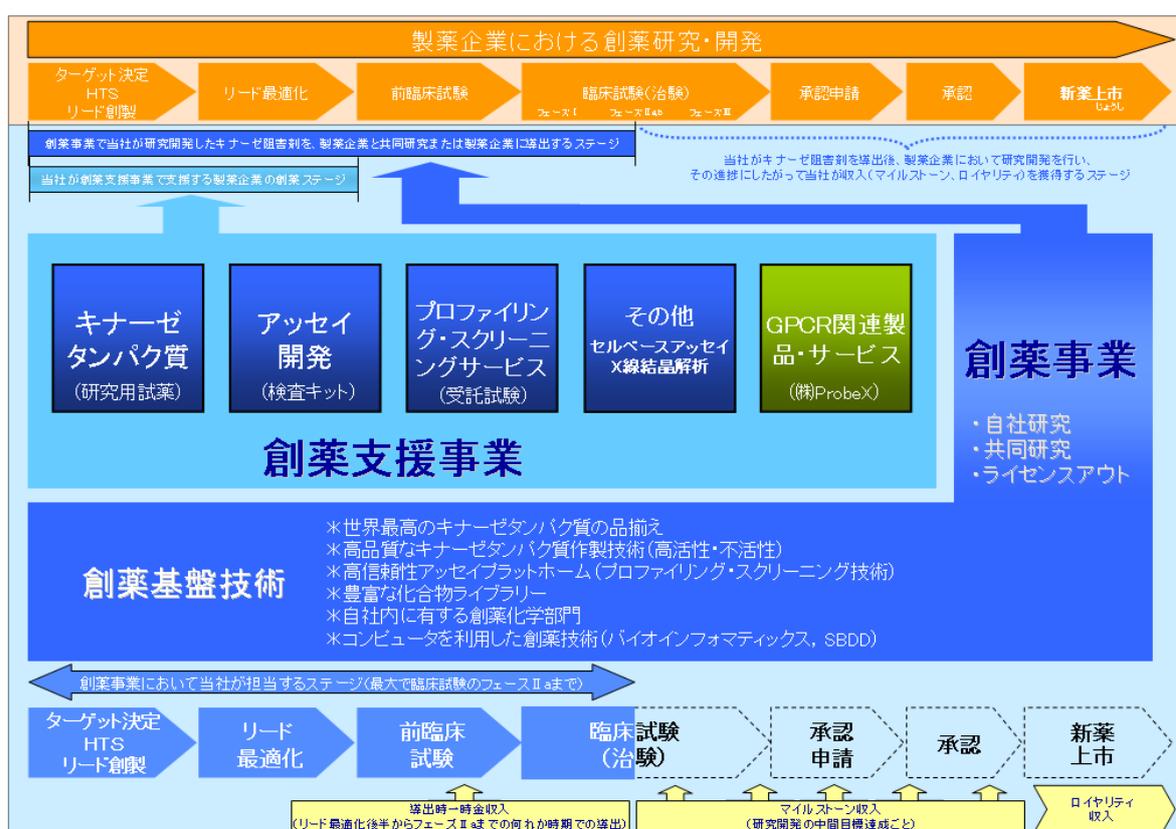
当社グループが属する製薬業界におきましては、医療制度改革や大型医薬品の特許切れに伴うジェネリック医薬品への代替促進等によって、大手製薬企業において収益悪化への対策が、経営課題として引き続き重要性を増しており、その対策の一環として研究開発費の抑制やオープンイノベーションが推進され、新薬候補パイプラインの外部からの導入や、有望なパイプラインを保

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。

有するバイオベンチャー企業を買収する動きとなつて現れております。それらとは対照的に、特に北米地域の有力なバイオベンチャー等は積極的な研究開発を実施しているとみられ、新薬研究の中心が徐々に移行しつつあるものと考えられます。

近年、新たに米国FDAに承認されたキナーゼ阻害剤の増加は著しいものがあり、バイオベンチャー及び製薬企業において研究開発されてきたキナーゼ阻害薬が、その成果として、次々と患者のもとに届けられてきております。特に、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がますます大きくなるなかで、これまでの適応疾患であったガン疾患にとどまらず、リウマチ等の免疫炎症疾患領域においても低分子キナーゼ阻害剤が新薬として承認されており、新たな展開を示しているといえます。

## 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（リン酸化酵素）が、遺伝子の変異等により異常な活性を示したり、異常なシグナルを伝達する等によって、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）などの病気を引き起こすことが知られており、これらキナーゼの活性を阻害するキナーゼ阻害薬の研究開発領域において、当社グループは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、このキナーゼ阻害薬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。細胞内に存在するキナーゼタンパク質を大量かつ高品質に取得する技術をはじめ、この取り出した試薬としてのキナーゼタンパク質と阻害薬との阻害活性の測定（アッセイ）技術、自社で有する数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、画期的なキナーゼ阻害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。さらに、顧客である製薬企業や公的研究機関等からの要請を受けて、当社製品・サービスカタログに掲載

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。

されていない特注のキナーゼ製品や薬剤評価サービスを開発し提供しており、キナーゼ関連の創薬基盤技術を高め、顧客要望に応えることで、企業価値を高めてまいりました。

また、2013年10月には株式会社ProbeXを完全子会社化したことにより、同社が有する分子イメージング用細胞の研究成果を、GPCR阻害薬研究分野の創薬支援事業として新たに提供することになりました。

セグメント別の事業内容は以下の通りです。

#### ①創薬事業

創薬事業においては、これら当社の創薬基盤技術を駆使し、キナーゼ阻害薬の創製研究を行っており、その研究成果を大手製薬企業等に導出（ライセンスアウト）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、次にキナーゼ阻害薬における米国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の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および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ならびに学術サポート等を行っております。また、連結子会社である株式会社ProbeXにおいてGPCR阻害薬研究分野における分子イメージング用細胞株等の研究開発及び提供等を行っております。

### 3) 前連結会計年度の総括

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のうちキナーゼという酵素の異常な活性を阻害することによる副作用の少ない経口のキナーゼ阻害薬を事業領域としており、上述のとおり、当該事業領域における新薬創製に係る研究開発はガン領域以外にも研究テーマが広がりを見せるなど依然活発な様相を呈しています。平成25年12月期において、当社グループは創業以来初の営業黒字を目標として、創薬事業及び創薬支援事業を展開してまいりましたが、創薬支援事業において当初予想を上回る売上高及び営業利益を達成し、過去最高の売上高及び営業利益を計上したものの、創薬事業において当社研究テーマの導出（ライセンスアウト）に係る一時金収入が持ち越しとなったことから、全社における売上高は、当初予想1,155百万円を383百万円下回る771百万円、営業利益は当初予想4百万円を305百万円下回る300百万円となりました。

#### ①創薬事業

当社の創薬事業においては、当社単独及び他の研究機関との共同研究により低分子キナーゼ阻害薬の創製研究を行っております。並行して、これら創薬研究において見出された医薬候補化合物を大手製薬企業等に導出（ライセンスアウト）する導出交渉を継続して行ってまいりました。当社がおもに研究しているアンメット・メディカル・ニーズが高い疾患領域の研究テーマにおいて、大手製薬企業等によるオープンイノベーションの研究開発体制が構築されつつあり、当社研究テーマの製薬企業等へ導出する研究開発ステージは、従来想定されていた臨床試験（フェーズⅡa）よりも早期の段階（医薬候補化合物の最適化から前臨床ステージ）において可能とする状況となってまいりました。このような事業環境の中、SBIバイオテック株式会社と共同で前臨床研究を実施しておりますCDC7/ASKキナーゼ阻害薬は、既存の抗がん剤が効かないガンを対象として多岐にわたる薬理試験を進めており、非常に有望な結果を得ることができました。また、Wntシグナルを標的とした独立行政法人国立がん研究センターとの共同研究（TNiKキナーゼ）では、ヒト腫瘍を用いた担癌動物モデルに対して非常に高い効果を示す化合物を見出すことに成功し、平成25

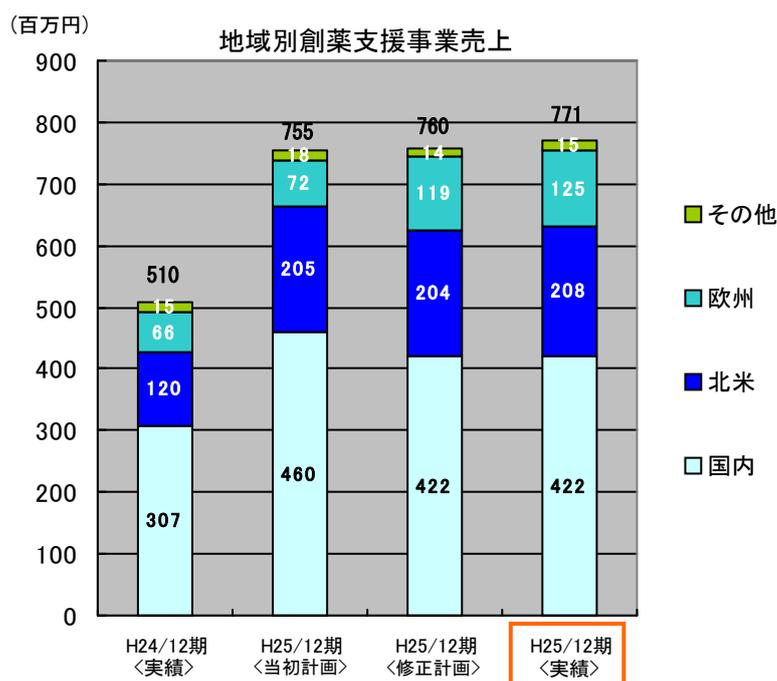
本資料は、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画に対する評価および投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。また本資料最終頁末尾の留意事項を必ずご参照下さい。

年12月期において前臨床試験段階へステージアップしました。さらに自己免疫疾患を対象としたBTK阻害薬プログラムは、短期的に本テーマへ人的資源を集中的に投入することで、非常に短期間で前臨床研究へステージアップしました。その他、株式会社キノファーマ（DYRK1Aキナーゼ）、ラクオリア創薬株式会社、神戸大学との共同研究等も順調に進めてまいりました。さらに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は、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25年度第2回【産学共同促進】ステージ ハイリスク挑戦タイプ」の補助金事業として採択され、リード化合物の最適化研究を実施しております。

## ②創薬支援事業

平成25年12月期の創薬支援事業は、前期比260百万円増、当初予想を16百万円上回る（12/20付修正予想（以下「修正予想」という）比11百万円増）、過去最高の売上高771百万円を達成しました。国内では、小野薬品工業株式会社からの大規模スクリーニングサービスの受注が安定的な売上確保に寄与し、当社プロファイリング・スクリーニングサービスにおける生産効率を飛躍的に高めることとなりました。また、本格的に提供を開始したRPPAサービスでは積極的な提案営業により着実に顧客を増やすことができました。その結果、国内売上高は前期比114百万円増（対前期比37.3%増）の422百万円となりました。つぎに北米地域においては、顧客層がメガファーマからバイオベンチャーに移行しつつあるなかで、これら顧客の研究開発活動を積極的に支援してまいりました。特にプロファイリング・スクリーニングサービスが大きく売上を伸ばす結果となりました。その結果、北米売上は、前期比87百万円増（対前期比72.2%増）の208百万円となりました。さらに、欧州地域では、販売代理人との連携強化によりキナーゼタンパク質販売およびその他のセルベースアッセイサービスを中心に売上が増加し、その結果、欧州売上は前期比58百万円増（対前対期比87.7%増）の125百万円となりました。その他地域は前期とほぼ同額の15百万円となりました。

以上により、創薬支援事業の営業利益は、前期比202百万円増（対前期比432.2%増）、当初予想を61百万円上回る249百万円となりました。これは主に、各地域において売上が好調であったこと、特にプロファイリング・スクリーニングサービスにおいて、小野薬品工業株式会社からの大規模スクリーニングサービスの受託に基づく生産計画の合理化と工程改善等により、収益構造が大幅に改善したことによるものであります。



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。

### 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薬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つつ、画期的な経口の分子標的薬を一日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

当社の創薬研究は、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。特に重点疾患領域であるガン領域では、「ガン幹細胞」への効果を評価するために、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。その結果、独立行政法人国立がん研究センターの共同研究（TNIK キナーゼ）において見出された化合物について、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が判明し、平成25年12月期に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。本テーマは引き続き独立行政法人医薬基盤研究所の補助金を有効に活用し、臨床試験開始へ向けて研究を推進していく予定です。またSBIバイオテック株式会社と共同で前臨床研究を実施しておりますCDC7/ASKキナーゼ阻害薬は、既存の抗がん剤が効かないガンを対象とした薬理試験で非常に有望な結果を得ており、早期の臨床試験開始を目指してまいります。さらに自己免疫疾患を対象としたBTK阻害薬プログラムは、短期的、集中的に本テーマへ人的資源を投入することで、ガン以外の領域において前臨床研究へステージアップしました。ここで獲得した自己免疫疾患を適応疾患としたキナーゼ阻害薬創製のノウハウを生かし、これに続く非ガン創薬プログラムの研究開発についても取り組んでまいります。その他の研究テーマとして、株式会社キノファーマ（DYRK1Aキナーゼ）、ラクオリア創薬株式会社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25年度第2回【産学共同促進】ステージ ハイリスク挑戦タイプ」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ついても、リード化合物の最適化研究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についても着々と進めてまいります。

研究テーマとステージ（平成25年12月末現在）

キナーゼ	対象疾患	研究パートナー	研究開発・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				

##### ②導出活動

創薬事業において画期的な新薬の創製研究している疾患領域では、前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による研究開発が推進され、研究の主体がバイオベンチャーやアカデミア等に移行しつつある創薬研究の状況を鑑み、当社は臨床試験の初期段階（フェーズII a）までの何れかの段階で製薬企業等に導出（ライセンスアウト）すること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、

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。

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つつ、早期に大手製薬企業等へ導出することを基本方針として、当社にとって最大価値を生み出すべく、戦略的に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要望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を基本方針としています。販売地域別には、特に、欧米でのシェア拡大が中長期的な経営戦略であり、平成25年12月期において販売ネットワークの再構築の推進や当社グループがオンリーワンで提供するサービスの拡販等により売上が大きく伸長したことから、継続的に新規顧客の開拓と既存顧客への拡販を行ってまいります。製品別では、顧客訴求力の高い製品であるビオチン化タンパク質や脂質キナーゼ等の拡充に注力するとともに、RPPAサービス等のセルベースアッセイサービスにおける対象キナーゼ数の拡大、ならびに既存技術を活用した新しいプロファイリング・スクリーニングサービスの開発にも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、大規模キナーゼスクリーニングサービス等の大口受託試験ビジネスにも注力してまいります。加えて、当社の顧客はガンの研究グループの比重が高いと思われるため、免疫炎症、中枢神経等、他の疾患領域の研究者へも引き続き拡販を図り売上の拡大を目指します。

さらに、平成25年10月1日付で株式交換により完全子会社化した株式会社ProbeXにおいて、GPCR阻害薬研究分野での相補型スプリットシフターゼアッセイ技術を用いた分子イメージング用細胞株等の品揃えの充実および販売に取り組んでまいります。

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

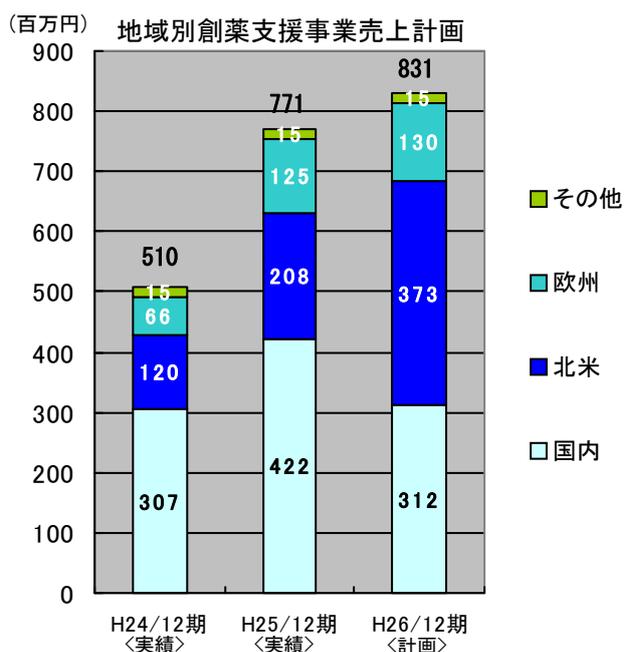
学術サポートの強化により顧客満足度の向上を図るとともに、既存顧客とのパイプをより強固にするなかで売上の拡大を目指します。特に、RPPAサービスおよびその他セルベースアッセイサービス等のオンリーワン製品・サービスの売上拡大に注力し、さらにGPCRビジネスの確立に取り組んでまいります。

### b. 北米地域

在米子会社であるCarnaBio USA, Inc. を拠点として、創薬研究の主要な推進力であるバイオベンチャーを中心として、広く新薬研究を行っている製薬企業等に対し、ガン以外の疾患領域も含め、当社製品、サービスの拡販に取り組んでまいります。

### 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及びオランダのNTRC社との関係強化に取り組み、既存製品の売上拡大に取り組むとともに、NTRC社の提供する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



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。

サービスやRPPAサービスの技術的な相互補完関係による薬剤評価サービスをパッケージとして提案し、売上の拡大を目指します。

d. その他地域

中国、インドを中心とした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、代理店との関係強化に取り組むなかで、売上拡大を目指してまいります。

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は、常にコスト削減を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・フローを創薬の研究開発資金に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)に基づきキャッシュ・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導出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、メリルリンチ日本証券株式会社に対し第三者割当を実施した第14回新株予約権に基づく資金調達を推進中であり、平成26年2月6日現在の当該新株予約権の未行使の数は5,651個(565,100株)であります。

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、創薬支援事業における受託試験用設備の更新及び導入ならびにその他研究開発用設備等の導入及び更新を計画しております。

その他、新規製品、サービスの拡充等において設備投資が必要になった場合は、迅速かつ適切な判断により、柔軟に対応してまいります。

5. 平成26年12月期の業績予想

(%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益	当期純利益
	百万円	%	百万円	%		
創薬支援事業	831	7.7	191	△23.1		
創薬事業						
全社						

(注) 次期の連結業績予想につきましては、従来、創薬事業において、当社研究テーマの大手製薬企業等への導出一時金収入等を想定して売上高予想を記載しておりましたが、本予想数値の公表が当社創薬事業の導出活動における最大価値創出の阻害要因として作用することが想定されることから、本中期経営計画より、当社グループの業績予想は創薬支援事業の数値のみ公表することといたしました。それに伴い、全社の業績予想についても記載しておりません。

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。

## (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、変異をしたキナーゼが誤ったシグナル伝達を行ったり、特定のキナーゼのリン酸化状態が過剰となっていることから、このようなキナーゼの異常活性を阻害することを目的として、創薬研究を行っております。すでに20種類を超えるこのようなキナーゼ阻害剤が、副作用が少ない画期的な飲み薬として、米国FDA等により承認され上市されております。また、投与前に薬が効く体質かどうかを事前診断する診断薬も新薬と並行して開発される場合もあり、薬効が高く副作用の少ない薬として注目を集めています。

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参与する酵素であるため、キナーゼ阻害の目的以外で研究されている薬においても、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において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においても重要な評価項目となっています。

<sup>(\*)</sup>リン酸化とは、タンパク質にリン酸基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>における代表的な経口薬として、世界各国の大手製薬企業や研究機関等で研究開発が行われています。現在、医薬品として認可され販売されている分子標的薬には、大きく分けて2種類あります。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薬(飲み薬)です。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もあります。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。

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。

#### 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研究開発を行い、製薬企業等へ導出（ライセンスアウト）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。

#### 5) GPCRについて

GPCRとは、細胞の内外を隔てる細胞膜を7回貫通する特徴的な構造から7回膜貫通型受容体と呼ばれ、細胞外からの神経伝達物質やホルモン等を受容して、そのシグナルを細胞内に伝える役割を担っています。全タンパク質中最大のファミリーを形成しているとされ、GPCRは多くの疾患に関与しているため、市販薬の数がGPCRを標的としているといわれています。

#### 6) 相補型スプリットルシフェラーゼアッセイ技術について

ルシフェラーゼとは、ホタルやヒカリコメツキムシ等の発光生物の体内に存在する酵素で、発光に必要な反応に関与しています。相補型スプリットルシフェラーゼアッセイ技術とは、ルシフェラーゼのDNA配列を適切な部位で2つに分断し、それぞれを細胞内に導入すると、自然界には存在しないルシフェラーゼのタンパク質断片が細胞内に生成されます。このようにして生成したタンパク質断片を総称してスプリットルシフェラーゼといい、これらのタンパク質断片が細胞内で物理的に近づくと、分断されていても発光を回復する現象を活用した分子イメージングのアッセイ技術をいいます。

以上

本開示資料は、投資者に対する情報提供を目的として将来の事業計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の様々な要因の変化により、実際の事業の状態・業績等は影響を受けることが予想され、本開示資料の記載内容と大きく異なる可能性があります。

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。