

中期経営計画

(平成27年12月期～平成29年12月期)

平成27年2月13日

上場会社名 カルナバイオサイエンス株式会社 (コード：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27年12月期～平成29年12月期)

(1) 基本方針

- 1) 平成27年12月期営業損益の黒字化の達成を目指す
- 2) 創薬事業における早期導出
- 3) 創薬支援事業における大規模受託試験の獲得及び完遂
- 4) 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 当社創薬パイプラインの大手製薬企業等への早期導出
- ② 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
- 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 売上高、売上シェアの拡大
- ② 大規模受託試験の獲得及び完遂
- ③ 当社オンリーワン製品、サービスの品揃えの拡大および拡販
- ④ 株式会社ProbeX(連結子会社)のスプリットルシフェラーゼ技術の応用に基づく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26年12月期における世界経済は、米国における雇用環境の改善や堅調な民間需要により回復基調で推移しましたが、欧州では地域差があるものの低成長で推移するとともに、新興国における経済の減速が顕著となる等、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、消費増税に伴う駆け込み需要の反動が長引くものの、原油価格の下落や円安の為替相場の影響等により、緩やかな景気回復の状況となって現れております。

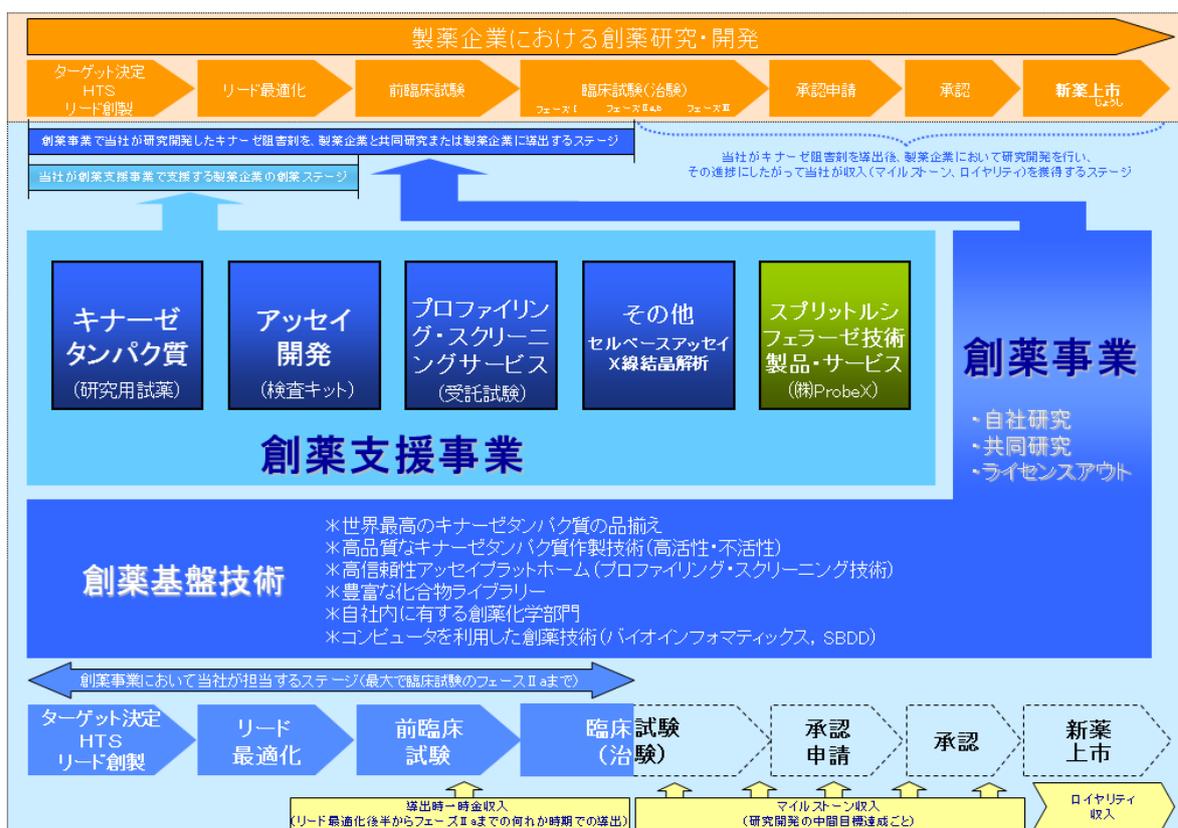
当社グループが属する製薬業界におきましては、医療制度改革や大型医薬品の特許切れに伴うジェネリック医薬品への代替促進等によって、大手製薬企業における収益悪化への対策が経営課題として引き続き重要性を増しており、医薬品の研究開発はさらなる選択と集中が進むものとみられ、有望な新薬候補パイプラインを保有するバイオベンチャー企業からの導

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。

入や、大学等のアカデミアとの連携を深めることで有望な研究テーマを獲得するなど、オープンイノベーションを前提とした研究環境が顕著になっております。さらに、わが国では、医療、医薬分野における研究開発の実用化の推進等を目的とした振興策が打ち出されるなかで、新規医薬品の研究開発における競争力強化が期待されております。

また、近年、米国FDAに承認されたキナーゼ阻害剤では、ガン領域のみならず免疫炎症疾患を対象としたものが登場しており、より副作用が少ない薬剤の開発が進むなかで、飛躍的な適応疾患の拡大が期待されています。これらキナーゼ阻害剤はその多くがバイオベンチャー企業において研究開発されたものであり、製薬企業と連携を図るなかで、未だ有効な治療法が確立されていない「アンメット・メディカル・ニーズ」が高い疾患を克服する歩みを強めております。

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（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、これら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が、この創薬基盤技術を駆使し、新たなキナーゼ阻害薬を創製することが当社ビジネスの主要な目的であり、ガンおよび免疫炎症疾患を適応疾患とした研究開発テーマにおいて3つが前臨床試験段階にあり、早期の臨床試験開始に向け、開発を進めております。

このような前臨床をはじめとする開発段階に至るまでの研究段階では、当社が有するキナーゼタンパク質に関する製品、サービスが利用されます。特定のキナーゼタンパク質を阻害する化合

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。

物の選択には、当社のキナーゼタンパク質やキナーゼスクリーニングサービスが利用され、ここで抽出されたヒット化合物からリード化合物を特定するための過程及びリード化合物の最適化には、当社のプロファイリングサービスや細胞を用いたセルベースアッセイサービスならびにRPPAサービスが利用されます。当社グループが提供するこれら製品・サービスは、創薬の研究ステージにあるテーマにおいて必要不可欠なものであり、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）技術は、世界各国の製薬企業や大学等の研究者から繰り返しオーダーを受けるなど信頼を得てまいりました。さらに、これら顧客からの要請を受けて、当社製品・サービスカタログに掲載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するなど柔軟な対応が評価の一助となり、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、完全子会社である株式会社ProbeXが有するスプリットルシフェラーゼ技術を応用したGPCR阻害薬研究に有効な安定発現細胞株を提供するなど、細胞内における各種タンパク質による伝達経路の可視化を実現する技術として、積極的に提案しております。

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企業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、完全子会社である株式会社ProbeXにおいては、GPCR阻害薬研究に利用可能な安定発現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タンパク質という酵素の一種が異常な活性となるのを阻害することにより、副作用の少ない経口のキナーゼ阻害薬の研究開発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26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、創薬支援事業における売上目標は北米地域での売上計画未達が影響し大きく下回るとともに、創薬事業において、当社研究テーマを製薬企業等へ導出することに伴う一時金収入の計上を計画し、BTK阻害薬を中心とする複数の研究テーマで可及的速やかに導出契約が成約するよう交渉を行ってまいりましたが、契約締結が翌期にずれ込むことになったこと等から、全社における売上高は611百万円、営業損失は634百万円となりました。

①創薬事業

平成26年6月に、SBIバイオテック株式会社からCDC7キナーゼ阻害薬についての権利を全て取得

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。

し、当社単独で前臨床試験を実施しております。本CDC7キナーゼ阻害薬は、従来の薬剤と異なり、がん細胞のみを細胞死に導くことがわかっており、非常に安全性の高い次世代抗ガン薬として期待されています。また、知的財産戦略上において非常に重要な本CDC7キナーゼ阻害薬に係る特許が、米国および日本において成立いたしました。特に日本では、スーパー早期審査制度を活用したことで、早期の権利化に成功いたしました。

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（TNIKキナーゼ）との共同研究では、当該研究で見出された化合物が、独立行政法人医薬基盤研究所の創薬総合支援事業「創薬ブースター」の支援課題に採択されました。Wntシグナルは、幹細胞の増殖と分化を調節して恒常性の維持管理をしており、様々なガンやガン幹細胞でこのWntシグナルが活性化されていることが知られています。TNIKキナーゼに対する阻害剤は、Wntシグナルを標的とした画期的な治療薬になりうるとして非常に期待されています。当社では、バックアップ化合物の研究も継続して実施しており、より良い薬理活性を示す化合物の取得を目指しています。TNIK阻害薬のテーマにおいても、知的財産の確保に積極的に取り組んでおり、当期においてはヨーロッパ特許庁、中国特許庁および日本国特許庁より特許査定を受け、本特許の権利が幅広い地域で確保されることになりました。

免疫炎症疾患を対象としたBTK阻害薬プログラムにおいても前臨床試験を実施しており、治験申請に必要な様々なデータを取得しております。BTKは、B細胞に存在するB細胞抗原受容体およびマクロファージのFcγ受容体のシグナル伝達に重要な役割をしていることから、BTK阻害薬は既存薬とは全く異なる作用機序を持つ新規リウマチ治療薬として期待されています。本BTK阻害薬についても、知的財産戦略上において重要な特許取得に積極的に取り組んでまいりました。

その他、ラクオリア創薬株式会社、神戸大学との共同研究も順調に進んでおります。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も、リード化合物の最適化研究を順調に実施しております。DYRK1Aキナーゼ阻害薬については平成26年12月末でキノファーマ社との共同研究を終了し、当社単独テーマとして進めることといたしました。

また、当社創薬テーマの導出に関しては、国内外の複数の大手製薬企業等と交渉を重ねてまいりましたが、交渉先から提示された契約条件と当社の希望条件との乖離等から契約締結を見送る等成約には至りませんでした。引き続き現在導出交渉中の大手製薬企業等との交渉を進め、当社にとっての最大価値を生み出す契約の締結に注力してまいります。

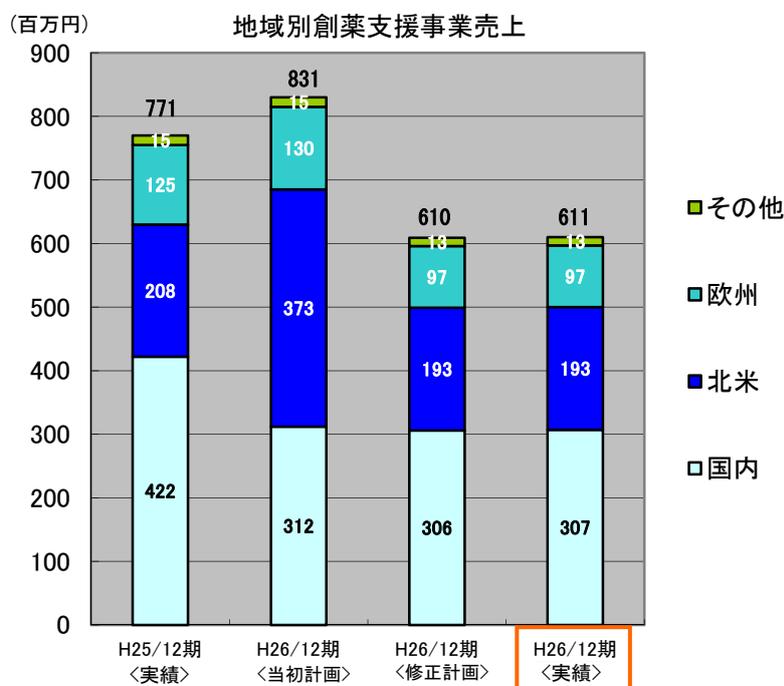
②創薬支援事業

平成26年12月期の創薬支援事業は、前期比159百万円減（20.7%減）、当初予想を219百万円下回る（平成26年12月19日付修正予想（以下「修正予想」という）比1百万円増）、売上高611百万円となりました。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委受託が平成25年12月に完了したことによる売上の減少等により、売上高は前期比115百万円減（対前期比27.3%減、修正予想比1百万円増）の307百万円となりました。つぎに北米地域においては、前期比14百万円減（対前期比7.0%減、修正予想比0百万円増）の193百万円となりました。ほぼ前期実績と同等の売上にとどまりましたが、これは大型スクリーニングサービスの受託を目指し取り組んでまいりましたがその獲得に至らなかったこと等によるものであり、引き続き活発な研究開発を行っているバイオベンチャー企業への販促に積極的に取り組んでまいります。さらに、欧州地域では、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の売上減少等により、前期比28百万円減（対前対期比22.7%減、修正予想比0百万円減）の97百万円となりました。その他地域は前期とほぼ同額の13百万円となりました。

以上により、創薬支援事業の営業利益は、前期比198百万円減（対前期比79.8%減）、当初予想を141百万円下回る（修正予想比5百万円増）50百万円となりました。これは主に、売上の前期比減少と、プロファイリング・スクリーニングサービスの売上減少に伴う原価率の上昇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。

なお、平成24年度より小野薬品工業株式会社と実施してきた新規キナーゼのアッセイ開発に関する共同研究は当初の目的を達成し当期において完了いたしました。本日別途公表いたしました「小野薬品工業株式会社との新たな大規模委受託契約及び共同研究契約締結に関するお知らせ」（以下「本お知らせ」という）に記載の通り、本共同研究に基づき開発が完了したアッセイ系を用いた同社化合物の活性評価等の大規模な委受託契約を締結することになりました。後述の「3. 事業別経営方針」の「2）創薬支援事業」に記載の通り、本委受託試験の完遂を必達目標として取り組んでまいります。



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、免疫炎症疾患を適応疾患領域としたキナーゼ阻害薬の創薬に取り組み、前臨床段階にある創薬テーマにおいて早期の臨床試験開始を目指して取り組むとともに、これら創薬テーマの早期導出を目指します。

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との共同研究（TNIKキナーゼ）において見出された化合物が、独立行政法人医薬基盤研究所の創薬総合支援事業「創薬ブースター」の支援課題に採択されました。本研究課題のテーマ採択により、TNIK阻害薬の前臨床試験が、国立がん研究センターと医薬基盤研究所の共同で実施されることとなり、迅速な臨床開発へのステージアップが期待されます。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したCDC7キナーゼ阻害薬の同社保有権利を当社が取得したことにより当社単独テーマとなったことから、さらに前臨床試験を加速し、早期の臨床試験開始を目指してまいります。免疫炎症疾患を対象としたBTK阻害薬プログラムについても、速やかに前臨床試験を進め、早期の臨床試験開始を目指してまいります。その他の研究テーマとして、ラ

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。

クオリア創薬株式会社との共同研究、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26年12月末現在）

化合物	標的 キナーゼ	対象疾患	研究開発・事業ステージ						
			リード化合物創製	化合物最適化	候補化合物の選択	前臨床試験	臨床試験	承認申請	上市
AS-141	CDC7/ASK	ガン	■	■	■	■			
バックアップ化合物	CDC7/ASK	ガン	■	■	■				
NCB-0846	Wnt-signal (TNIK)	ガン	■	■	■	■			
NCB-0594	Wnt-signal (TNIK)	ガン	■	■	■				
AS-550	BTK	免疫炎症疾患	■	■	■	■			
バックアップ化合物	BTK	免疫炎症疾患	■	■	■				
低分子化合物	キナーゼ	白血病幹細胞	■	■					
低分子化合物	キナーゼ	免疫炎症疾患	■						
低分子化合物	N/A	マラリア	■	■					
低分子化合物	DYRK1a	アルツハイマー病	■	■					
低分子化合物	キナーゼ	貧血	■	■					

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企業や大学等のアカデミア等に移行しつつありますが、このような創薬研究を取り巻く状況を鑑み、早期導出を基本方針として堅持し、臨床試験の初期段階（フェーズⅡa）までの何れかの段階で製薬企業等に導出することを基本方針としてまいります。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

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。

のシェア拡大が中長期的な経営戦略であり、今後も一定規模のスクリーニングサービスの獲得に向けて営業体制の強化に取り組んでまいります。国内においても小野薬品工業株式会社との大規模な委受託契約締結の事例を横展開し、売上の拡大を目指してまいります。

製品別では、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、ならびに今期開発に成功し販売を開始したプレインキュベーションアッセイサービスなど、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拡大に取り組むとともに、ビオチン化タンパク質や脂質キナーゼ等の顧客訴求力の高い製品の拡充に注力してまいります。さらに、上述の小野薬品工業株式会社との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は安定的な収益確保の観点から重要との認識に基づき、新たな受注獲得に向け国内外を問わず注力してまいります。また、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。

加えて、完全子会社である株式会社ProbeXにおいて、GPCR阻害薬研究分野やタンパク質シグナル伝達領域における相補型スプリットリソフェラーゼアッセイ技術を用いた分子イメージング用安定発現細胞株等の開発に取り組み、当社グループの売上に貢献してまいります。

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。特に、本日別途公表した本お知らせに記載の内容に基づき、小野薬品工業株式会社と締結した大規模キナーゼプロファイリングサービスの受託試験等の完遂を必達目標として取り組みます。さらに今後需要の拡大が期待されるProbeX社製品の拡販に取り組んでまいります。

b. 北米地域

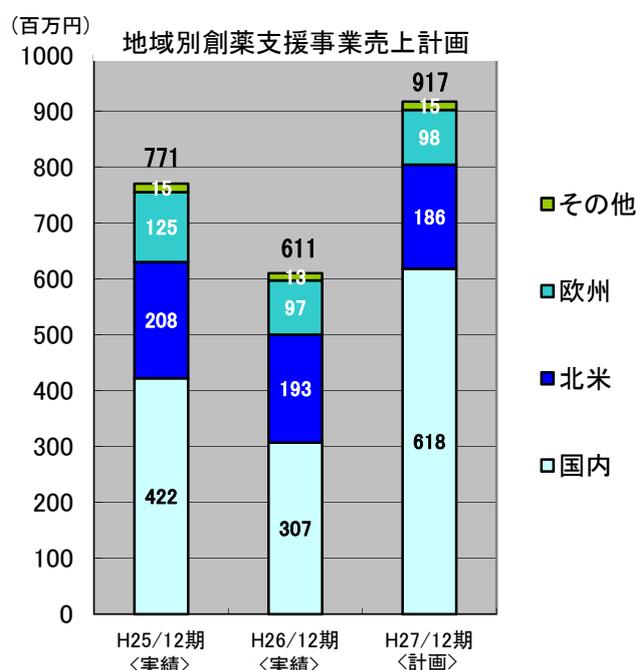
在米子会社であるCarnaBio USA, Inc.を拠点として、創薬研究を活発に行っているバイオベンチャー企業を中心に、大手製薬企業へも拡販を図り、シェア拡大を目指します。さらに、引き続き一定規模のまとまったスクリーニングサービスの受注獲得に注力してまいります。

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、売上拡大に取り組んでまいります。

d. その他地域

中国、インドを中心としたアジア地域の創薬研究の高まりが、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み、売上拡大を目指してまいります。



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。

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、メルリ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27年2月12日現在の当該新株予約権の未行使の数は5,190個(519,000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、一定の設備導入が完了したことから大きな設備投資は予定しておりません。

新規製品、サービスの拡充や代替設備導入等により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27年12月期の業績予想

当社グループの平成27年12月期の連結業績予想は以下の通りであり、その前提条件等は上記2. 中期経営計画の前提条件及び事業環境の分析および3. 事業別経営方針に記載のとおりであります。
(%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	917	50.0	406	708.1		
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、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しております。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。また、平成28年12月期以降の業績目標は現時点において合理的な算定が困難であること等から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^(*)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。

^(*)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^(*)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^(*)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。

^(*)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。

^(*)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はありますが、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) ProbeX社が有する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。

本技術は、現在GPCR（7回膜貫通型受容体）をターゲットにした阻害薬の研究用安定発現細胞株に適用され既に発売しており、さらにキナーゼを含めたタンパク質のシグナル伝達経路に関する創薬研究用の安定発現細胞株にも応用可能な技術として強力に開発を推進しております。

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。