

2016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

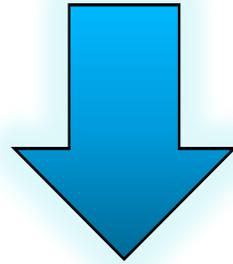
■ ProNAi（プロナイ・セラピューティクス）社とのライセンス契約（5月）

- 導出プログラム：当社が開発したCDC7を標的とする医薬品候補化合物（AS-141およびバックアップ化合物）
- ライセンス内容：上記化合物に関する全世界を対象とした開発・商業化の独占的な権利を供与
- 疾患領域：がん領域
- 導出一時金の額：90万ドル（0.98億円）受領済
- マイルストーン総額：最大270百万ドル（約300億円）
- ロイヤリティ収入：上市（発売）後の売上高に応じて段階的に増加する一桁の割合のロイヤリティ
- 今後の予定：ProNAi社より、2017年下半期（7-12月）において、臨床試験のフェーズIに入る予定とアナウンスされている

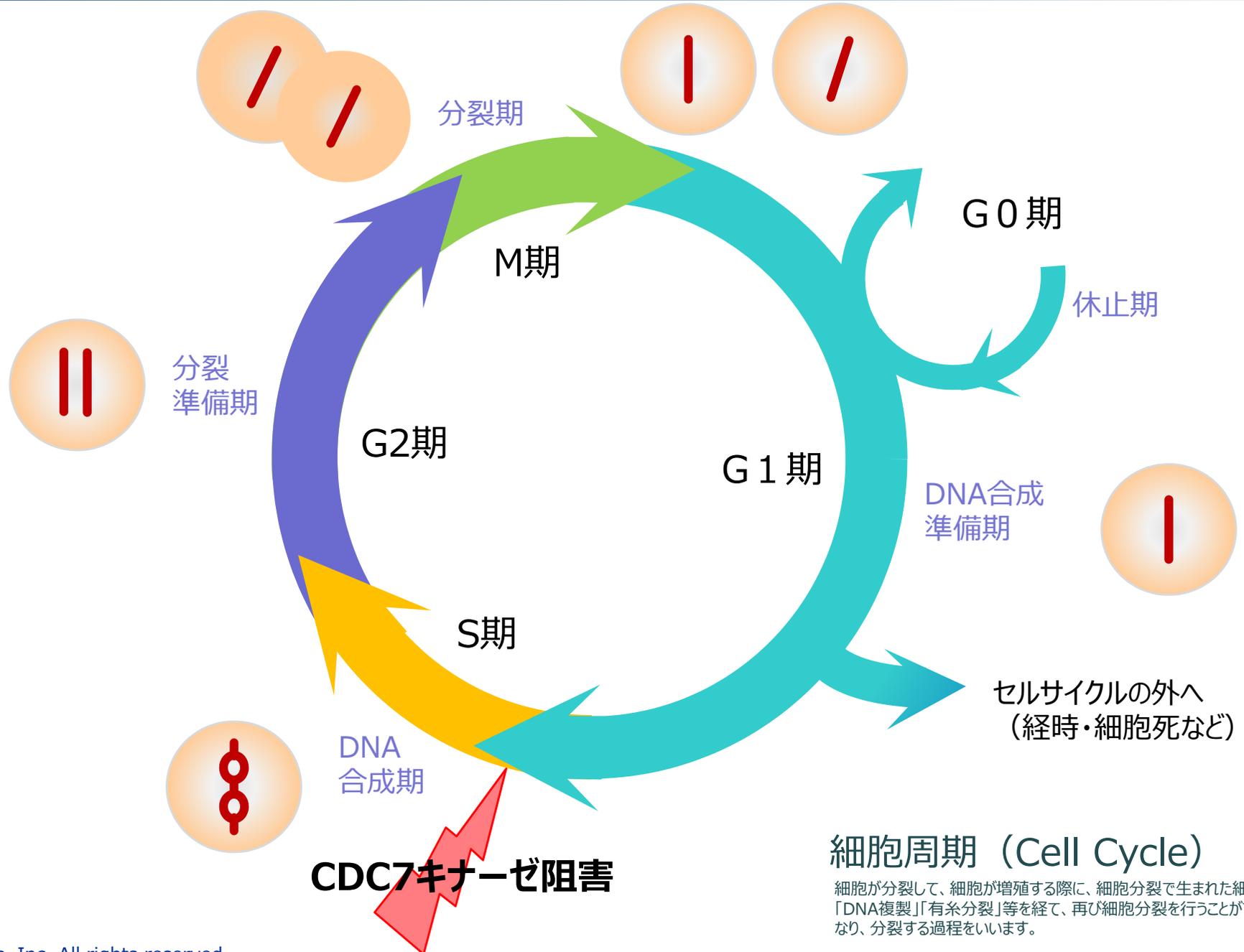
| | | |
|-------------|--|---|
| <p>社名</p> | <p>ProNAi Therapeutics, Inc. (2003年設立) 本社：カナダ British Columbia州 開発：米国 California州 米国 Michigan州</p> |  |
| <p>代表者</p> | <p>Nick Glover, PhD, President and Chief Executive Officer (主な経歴)</p> <ul style="list-style-type: none"> • President and Chief Executive Officer, YM BioSciences Inc. • President and Chief Executive Officer, Viventia Bio Inc. • Investment Manager, MDS Capital • Board of Directors, MEI Pharma Inc. (現任) | |
| <p>事業開発</p> | <p>Angie You, PhD, Chief Business & Strategy Officer and Head of Commercial (主な経歴)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Chief Business Officer, Aragon Pharmaceuticals • Chief Business Officer, Synosia Therapeutics and Ren Pharmaceuticals • Vice President, Venrock (venture capital firm) | |
| <p>臨床開発</p> | <p>Dr. Barbara Klencke, MD, Chief Development Officer (主な経歴)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Senior Vice President, Development at Onyx Pharmaceuticals • Group Medical Director in Product Development, Oncology at Genentech, Inc. | |
| <p>手許資金</p> | <p>\$140.9M (2016年3月31日現在)</p> | |

✓ 2015年上市したPfizer社のCDK4/6阻害剤

✓ 2020年の売上予測 \$5,113 million
(Source : EvaluatePharma)



- 細胞周期阻害薬
- DNAダメージ
- DNAダメージリペア



CDC7阻害薬

がん細胞の
DNAダメージ

- Cisplatin (シスプラチン)
- Carboplatin (カルボプラチン)
- Etoposide (エトポシド)
- Irinotecan (イリノテカン)
- Topotecan (トポテカン)

抗がん剤

DNAの修復
(DDR:DNA Damage Repair)

WEE1

ATR

ATM

CHK1

DNA-PK

PARP

DNA修復タンパク質

がん細胞の生存

第2四半期 連結経営成績の概況



- ✓売上高は、対前年同期比 61.0%減（対前期比692百万円減）
- ✓営業損益は、売上減ならびに研究開発費及びその他販管費増により 195百万円の損失（対前期比875百万円の悪化）
- ✓当期純損益は、営業損益の悪化ならびに特別利益の計上等により 33百万円の損失（対前期比700百万円の悪化）

(単位：百万円)

| | 売上高 | 営業損益 | 経常損益 | 当期純損益 |
|----------------------|--------|------|------|-------|
| 2016年12月期第2四半期実績 (a) | 442 | △195 | △208 | △33 |
| 2015年12月期第2四半期実績 (b) | 1,134 | 679 | 704 | 666 |
| 対前年同期比 (c)=(a)-(b) | △692 | △875 | △912 | △700 |
| 対前年同期増減率 (d)=(c)/(b) | △61.0% | — | — | — |

(注1) 百万円未満は切り捨てして表示しております。

(注2) 対前年同期増減率における「営業損益」「経常損益」「当期純損益」の値は、当期においてそれぞれ損失を計上しているため数値を表示しておりません。

(注3) 2016年12月期の創薬事業及び全社の計画値は公表しておりません。詳細は平成27年12月期決算短信をご参照ください。

第2四半期 事業別業績の概況

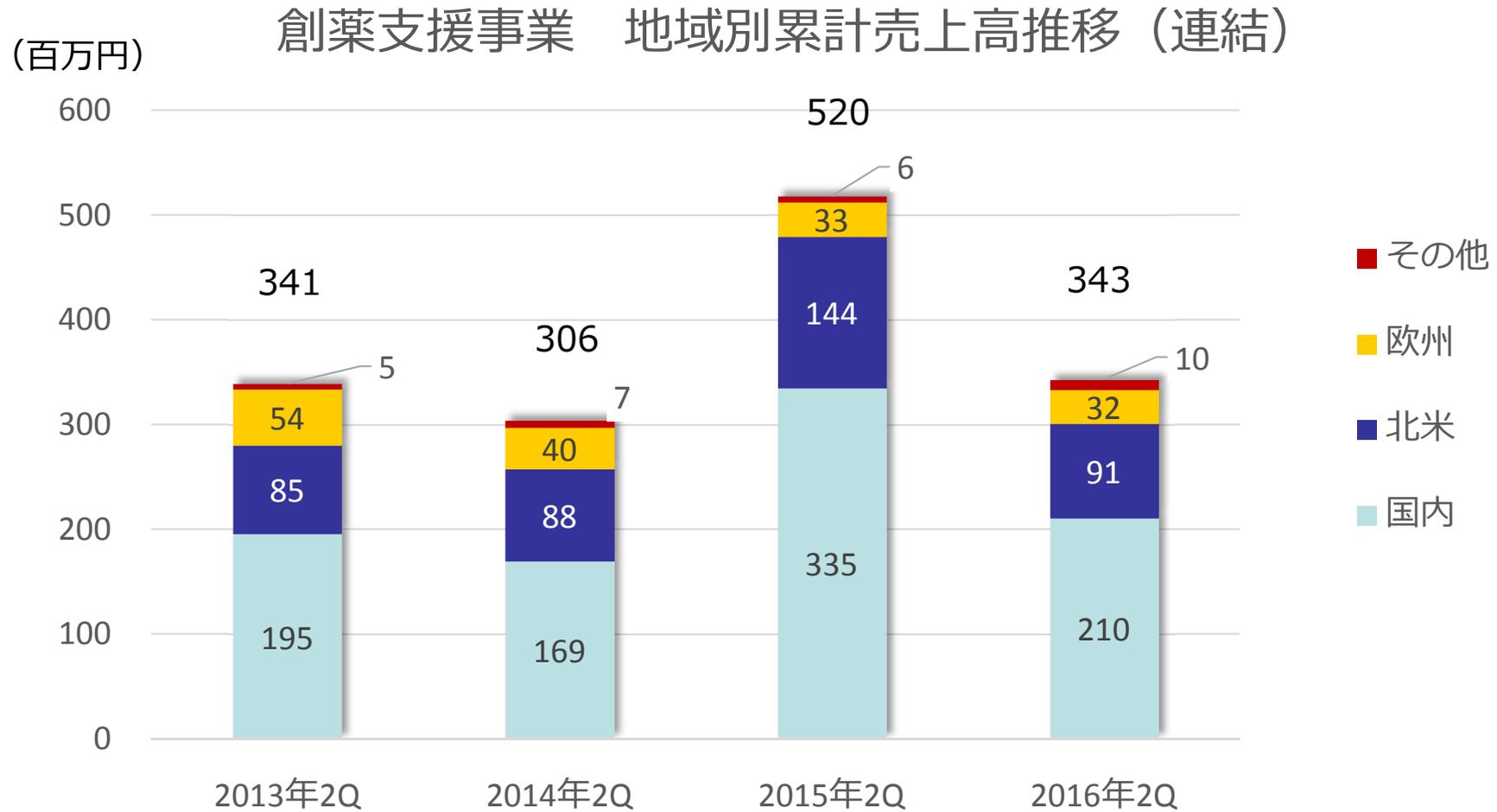


(単位：百万円)

| | 売上高 | | | 営業損益 | | |
|--------------------------|--------|--------|--------|--------|------|------|
| | 創薬支援事業 | 創薬事業 | 計 | 創薬支援事業 | 創薬事業 | 計 |
| 2016年12月期 第2四半期実績 (a) | 343 | 98 | 442 | 78 | △274 | △195 |
| 2015年12月期 第2四半期実績 (b) | 520 | 614 | 1,134 | 278 | 401 | 679 |
| 対前年同期比 (c)=(a)-(b) | △176 | △515 | △692 | △199 | △675 | △875 |
| 対前年同期増減率 (d)=(c)/(b) | △33.9% | △83.9% | △61.0% | △71.8% | — | — |
| 2016年12月期 通期計画 (d) | 858 | | | 320 | | |
| 通期計画に対する 進捗率 (a)/(d) | 40.0% | | | 24.6% | | |

(注1) 百万円未満は切り捨てて表示しております。

(注2) 創薬支援事業の2016年12月期通期計画値は、2016年2月12日発表の通期計画に基づいております。なお、創薬事業及び全社の計画値は公表しておりません。詳細は平成27年12月期決算短信をご参照ください。



(注) 小野薬品工業向け売上高
 2015年2Q … 221百万円
 2016年2Q … 112百万円

バランスシート状況 (連結)



(単位：百万円)

| | 2016年12月期 第2四半期末 | 2015年12月末 | 増減額 | 増減理由 |
|----------|---------------------|-----------|------|--|
| 流動資産 | 2,548 | 1,995 | +552 | |
| 現金及び預金 | 2,320 | 1,624 | +695 | 普通預金+725等 |
| その他 | 227 | 370 | △143 | 売掛金△126等 |
| 固定資産 | 80 | 341 | △261 | クリスタルゲノミクス社株式売却△274等 |
| 資産合計 | 2,629 | 2,337 | 291 | |
| 流動負債 | 190 | 235 | △45 | 未払金△42、未払法人税△28、1年内返済長期借入金+78、未払消費税△20、預り金△15等 |
| 固定負債 | 455 | 231 | 224 | 長期借入金+278、繰延税金負債△54等 |
| 負債合計 | 645 | 467 | 178 | |
| 純資産合計 | 1,983 | 1,870 | 113 | 資本金及び資本剰余金+278、利益剰余金△33、株式評価差額△114、為替換算調整△10等 |
| 負債・純資産合計 | 2,629 | 2,337 | 291 | |

| | | |
|--------------|---------|---------|
| 自己資本比率 | 75.3% | 79.7% |
| 一株当たり純資産 | 214.31円 | 208.78円 |
| PBR(株価純資産倍率) | 10.62倍 | 13.04倍 |
| (参考) 当社株価 | 2,275円 | 2,722円 |

(注) 当社株価はJASDAQグロースにおける終値に基づいております。

<がん領域>

➤ CDC7阻害薬

本年5月にProNAi社に導出し、今後は同社により開発。

開発の進捗に応じて、今後最大2億7千万ドルのマイルストーンを受領。

上市後には売上高に応じた1桁台のロイヤリティを受領。

ProNAi社による2017年下半期の臨床試験開始を目指し、技術移管中。

➤ 国立研究開発法人国立がん研究センター（TNIK阻害薬）ならびに広島大学（TGFβシグナル阻害薬）との共同研究では、がん幹細胞を標的とした画期的な抗がん剤を開発するため、引き続き創薬研究を進める。

Wntシグナル（TNIK）およびTGFβシグナルは、がん免疫に深く関わっていることが報告されているため、がん免疫療法への応用研究も進める。

<免疫炎症疾患領域>

- ▶ ヤンセン・バイオテック社との免疫疾患領域の医薬品候補化合物に関するライセンス契約が、同社の戦略上の理由により終了。
ヤンセン・バイオテック社より本化合物の開発・販売権などすべての権利が当社に返還される。
- ▶ 当社は、本化合物が有望と考えており、当社において開発を継続し、新たな導出先の検討を進める。
- ▶ 新たな免疫炎症疾患領域のテーマが進行中。

<その他疾患領域>

- ▶ 北里大学と共同で実施している次世代抗マラリア薬の開発も、A-STEPの研究成果最適展開支援事業として、順調にリード化合物の最適化を推進中。
- ▶ その他の最適化段階にあるテーマに関しても、研究を着実に進め、創薬パイプラインの強化を図る。

<開発体制の強化：自社開発>

- 画期的な新薬をいち早く医療現場に届けるためには、研究段階から臨床試験へのスムーズな移行が重要。
- 上記の実現のために、自社で臨床試験を実施できる体制の構築を進める。
- これにより、新薬の開発スピードが向上するだけでなく、ヒトでの安全性、有効性の裏付けができ、パイプラインの価値および導出確度の飛躍的な向上が期待できる。

<C-Lab>

- 米国サウスサンフランシスコに新たに開設したC-Labでは、現地採用1名、日本からの派遣1名の体制ですでに研究を開始しており、従来にない全く新しいタイプの創薬の基礎となる研究を進める。

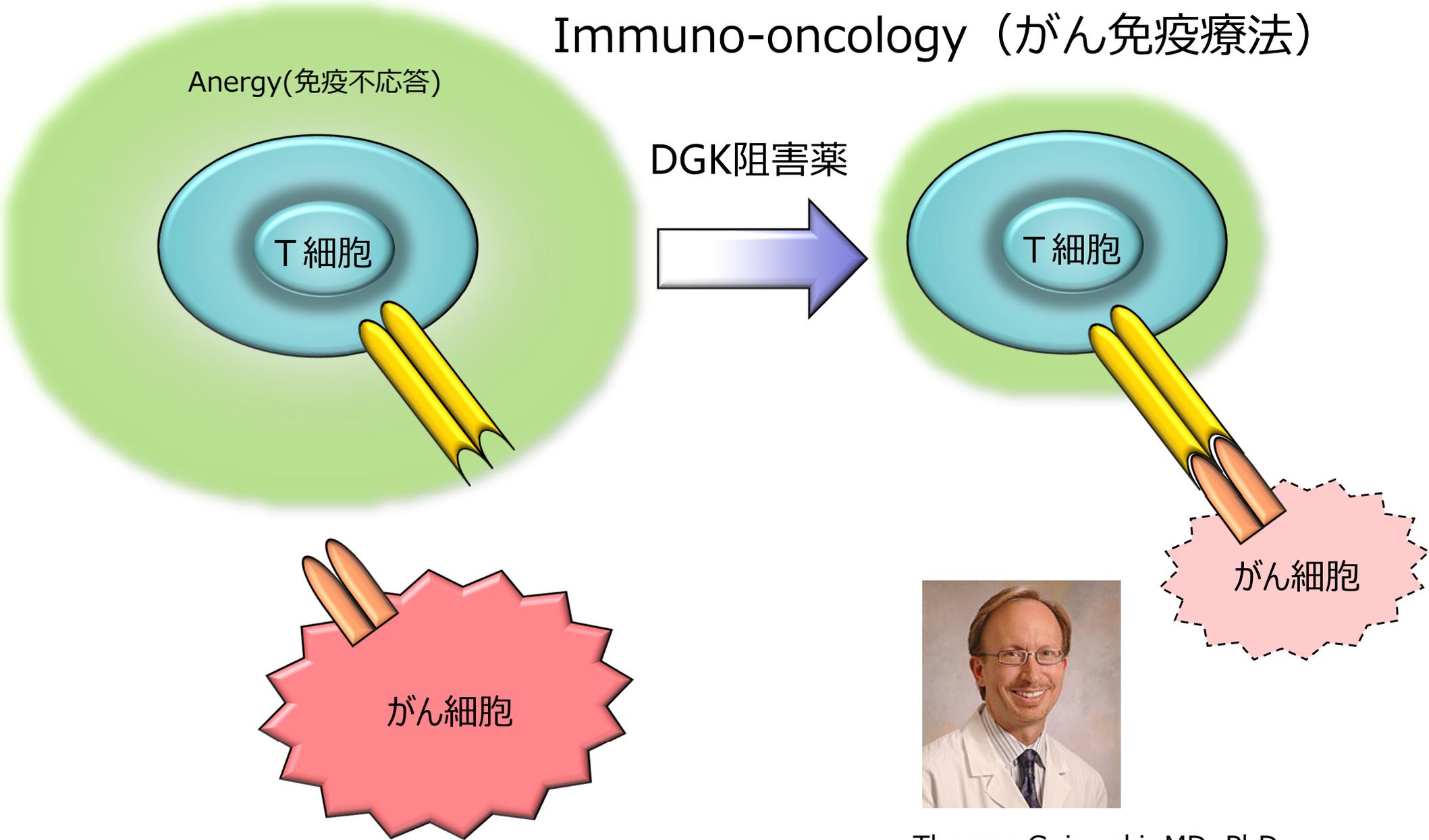


JLABS @ SSF

| 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 |
| PNT141 | CDC7キナーゼ | がん |  ProNAi へ導出済み | | | | | | |
| NCB-0846 | Wnt-signal (TNIK) | がん | | | | | | | |
| NCB-0594 | Wnt-signal (TNIK) | がん | | | | | | | |
| 低分子化合物 | TGFβ signaling | 白血病幹細胞 がん免疫療法 | | | | | | | |
| 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 | キナーゼ | 神経変性疾患 | | | | | | | |
| 低分子化合物 | キナーゼ | 貧血 | | | | | | | |

(注) 上記のほかに、ヤンセン・バイオテック社へ導出した免疫疾患を対象としたテーマが本年8月23日付けで、同社よりすべての権利が返還され、自社で開発を継続し、新たな導出先の検討を進めてまいります。

Immuno-oncology (がん免疫療法)



Thomas Gajewski, MD, PhD
出典 : The University of Chicago webサイト

D G K (ジアシルグリセロール キナーゼ) とは、
脂質 (ジアシルグリセロール) にリンを付加するキナーゼのことをいいます。

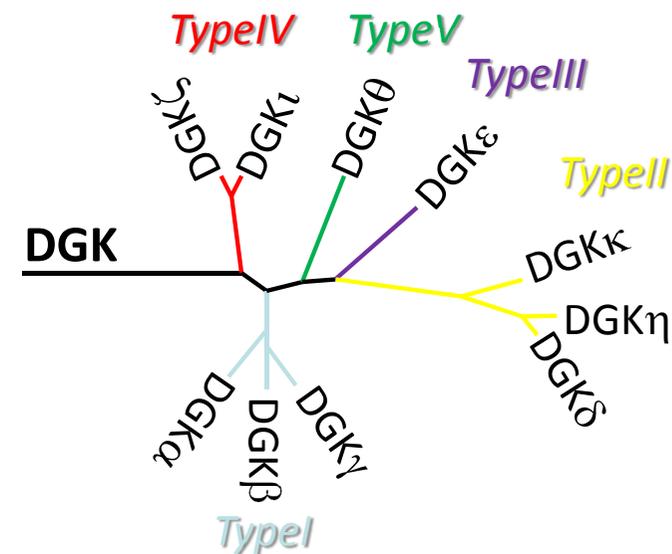


ジアシルグリセロール キナーゼ (diacylglycerol kinase)

- ✓ D G K は、がん免疫療法の創薬ターゲットとして注目されている
- ✓ D G K は、脂質キナーゼに分類され、基質が脂(あぶら)であり、構造が不安定であるため、アッセイ系の構築がむずかしい

10種類（ビオチン化タンパク含め20製品）を7月1日に新発売しました

| GST-DGK | ビオチン化DGK |
|-----------------------|---------------------------|
| DGK α (DGKA) | BTN-DGK α (DGKA) |
| DGK β (DGKB) | BTN-DGK β (DGKB) |
| DGK γ (DGKG) | BTN-DGK γ (DGKG) |
| DGK δ (DGKD) | BTN-DGK δ (DGKD) |
| DGK ϵ (DGKE) | BTN-DGK ϵ (DGKE) |
| DGK η (DGKH) | BTN-DGK η (DGKH) |
| DGK ι (DGKI) | BTN-DGK ι (DGKI) |
| DGK κ (DGKK) | BTN-DGK κ (DGKK) |
| DGK θ (DGKQ) | BTN-DGK θ (DGKQ) |
| DGK ζ (DGKZ) | BTN-DGK ζ (DGKZ) |
| 計10種類 | 計10種類 |



DGKタンパク質10種類のシリーズすべてを取り揃えているのは **当社のみ** です。

(2016年7月1日現在：当社調べ)

- DGKの拡販
- DGK阻害化合物の大型スクリーニング受託（北米）
- e-コマースサイトの立ち上げ（北米）

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

Tel (078) 302-7075 Fax (078) 302-6665

<http://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。