

株主様向け 事業説明会

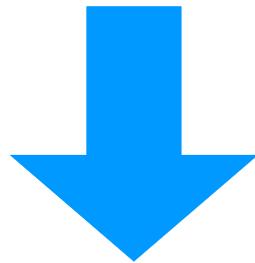
2021年3月25日
カルナバイオサイエンス株式会社



証券コード : 4572

21世紀に残されたアンメットメディカルニーズに対応する画期的な新薬を生み出す

創薬標的から新薬を研究開発し、継続的に創薬パイプラインを創製可能な技術力



革新的な医薬品を次々に世に送り出すことにより、飛躍的な成長を目指す



<創薬事業>

- がん領域と免疫炎症領域を重点領域とした少数精鋭の研究体制
- ファーストインクラスとベストインクラスの両パイプラインの構築
- 自社での臨床試験によるパイプラインの価値最大化

<創薬支援事業>

- 各製薬企業による新たなキナーゼ阻害薬創製の支援
- 自社創薬事業への投資資源の確保



- 当社として初めての臨床試験となるBTK阻害剤AS-0871の第I相臨床試験をオランダで開始
- BTK阻害剤AS-1763の前臨床試験の完了
- 中国バイオノバ・ファーマシューティカルズとBTK阻害剤AS-1763の中華圏におけるライセンス契約を締結
- CDC7阻害剤AS-0141の全権利を再取得
- 創薬支援事業で過去最高の売上高を達成

□ 新型コロナウイルス感染症への対応

- ✓ 第1四半期の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、デスクワークの社員を中心とした在宅勤務、時差通勤、マスクの着用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。

<創薬事業>

- AS-0871：フェーズIの開始（上期）➡ 2020年8月に投与開始
- AS-1763：IND申請（下期）➡ CTA申請書類が2020年末に完成し、2021年2月にCTA承認済み
- 少なくとも1テーマの前臨床段階へのステージアップ
➡ 2021年中の達成を目指す

<創薬支援事業>

- 10.3億円の売上達成 ➡ 10.8億円と過去最高の売上を達成
- 新製品の発売 ➡ 19種類のタンパク質製品、アッセイキットに5種類のターゲットを追加、プロファイリングに3種類のターゲットを追加
- NanoBRETのサービス拡大 ➡ 北米・日本中心に順調に拡大

創藥事業

- 中国バイオノバ・ファーマシューティカルズとBTK阻害剤AS-1763の中華圏におけるライセンス契約を締結（1Q）
- CDC7阻害剤AS-0141の開発・販売・製造に関する全権利をシエラ・オンコロジー社から再取得（2Q）
- BTK阻害剤の米国における特許登録（2Q）
- 当社初のファースト・イン・ヒューマン（FIH：ヒト初回投与）試験となる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（3Q）

<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			 GILEAD
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫			自社 /  BioNova Pharmaceuticals (中華圏のみ)
低分子	ALK5	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。

ブルトン型チロシンキナーゼ (BTK)

- ✓ B細胞やマクロファージにおいて、重要な役割をしているキナーゼ
- ✓ 最初のBTK阻害薬イブルチニブの成功で非常に注目されている
- ✓ イブルチニブのピークセールス見込みは100億ドル以上

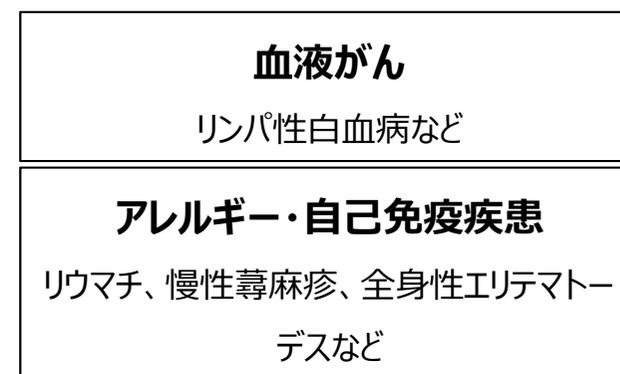


B細胞 マクロファージ 肥満細胞
好塩基球



◆ 上市済みのBTK阻害薬の売上

発売	製品名	会社	主疾患	2019年	2026年 予想
2013年	イブルチニブ	AbbVie J&J	血液がん	56億ドル	107億ドル*1
2017年	アカラブルチニブ	Astra Zeneca	血液がん	1.6億ドル*2	



2019年1月に、非共有結合型BTK阻害剤LOXO-305を含むキナーゼ阻害剤を有する米Loxo Oncology社が、米Eli Lilly社に約80億ドル（当時約8,700億円）で買収され、2019年12月にも、非共有結合型BTK阻害剤ARQ531を開発中の米ArQule社が、米Merck社に27億ドル（当時約2,900億円）で買収されたことから、非共有結合型BTK阻害剤の市場価値は非常に高いと考えられます。

出所：*1 Evaluate Pharma
*2 会社資料

◆ 自己免疫疾患をターゲットとして開発中

化合物	開発会社	開発段階
Fenebrutinib (GDC-0853)	Roche / Genentech	P3

◆ がんをターゲットとして開発中

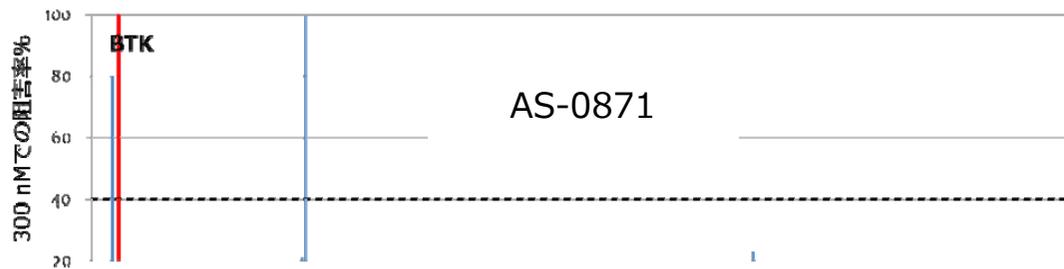
化合物	開発会社	開発段階
vecabrutinib (SNS-062)	Sunesis	P1b
ARQ531	Merck(ArQule)	P2
LOXO-305	Loxo / Lilly	P1/2

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 試験を開始し、単回投与試験が完了

- ✓ 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日に投与を開始しました。
- ✓ 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、全ての用量の投与が完了いたしました。
- ✓ 2021年第 1 四半期に当該試験に関する最終結果が得られる予定です。
- ✓ 2021年下半期から新製剤を用いたフェーズ 1 試験の反復投与用量漸増試験（MAD）パートを開始する計画にしており、2022年上半期に同試験の終了を予定しています。

◆ 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

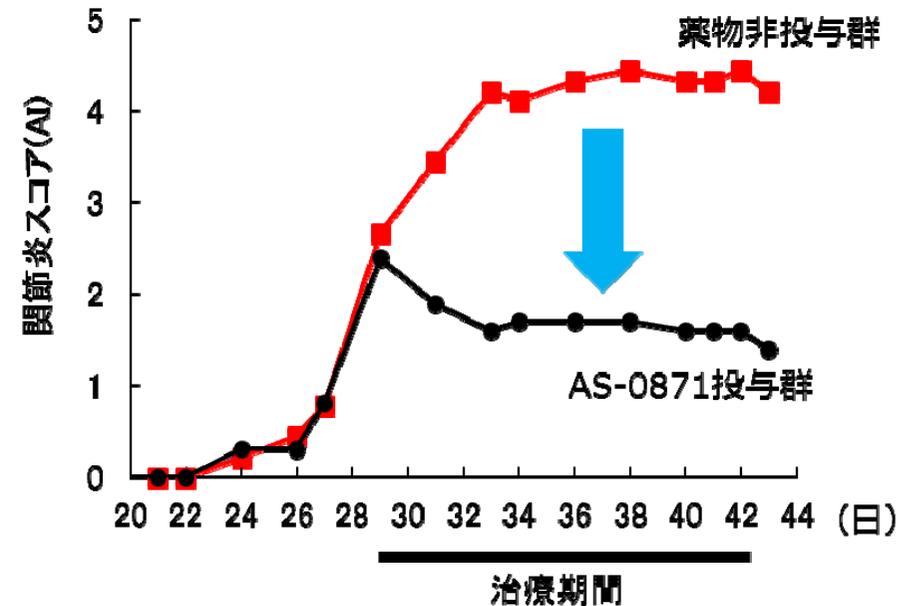


溶媒



AS-0871

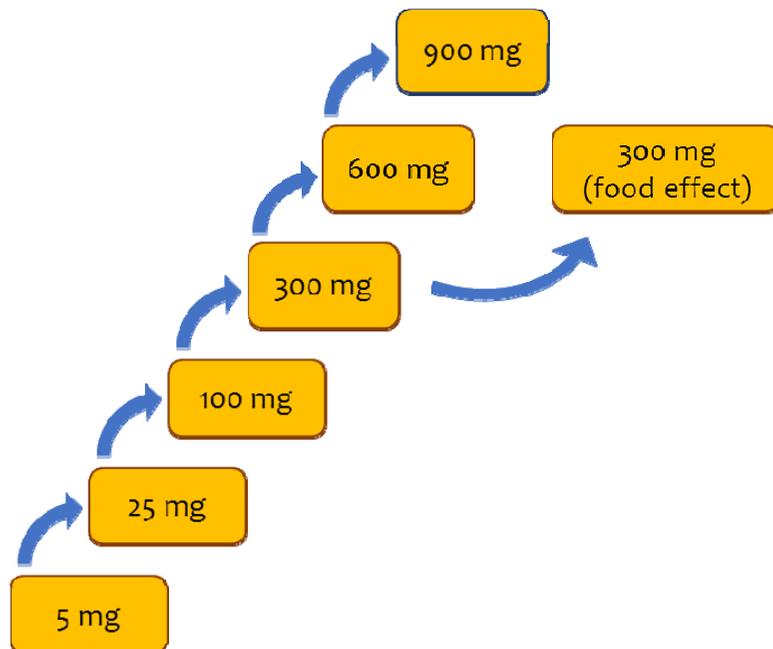
◆ コラーゲン誘発関節炎マウスモデルにおける高い治療効果



Step 1 単回投与用量漸増試験 (SAD)	Step 2
<ul style="list-style-type: none"> 7用量を予定 (8例/群) 各用量: 実薬6例、プラセボ2例 安全性, 忍容性の評価 薬物動態および薬力学的評価 	<ul style="list-style-type: none"> 食事の影響



反復投与用量漸増試験 (MAD)へ



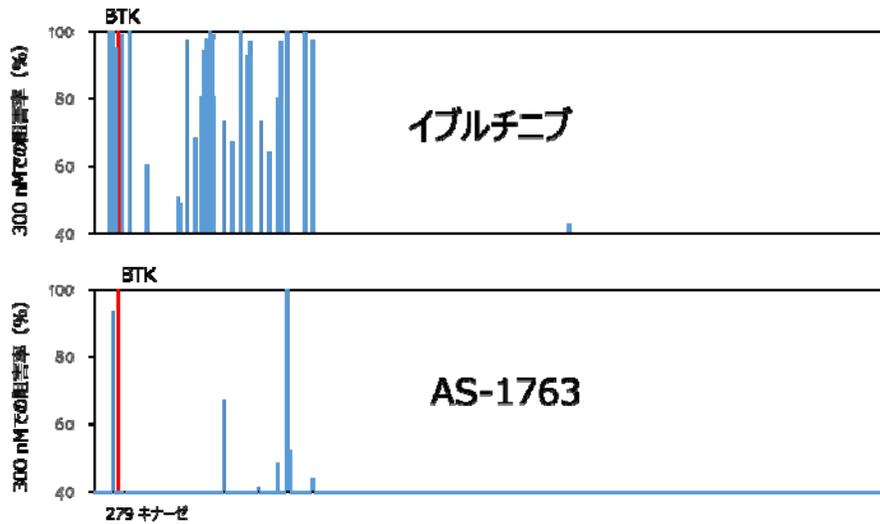
- ✓ 全ての用量で安全性および忍容性を確認
- ✓ 薬物動態も良好
- ✓ 薬力学的評価として実施したB細胞および好塩基球の活性化も100mg以上の用量で強力に阻害
- ✓ 最終結果の確定後、その試験結果を基に、反復投与用量漸増試験 (MAD) パートを計画
- ✓ MAD試験は新製剤を用いる予定

AS-1763 : 血液がんを対象に開発

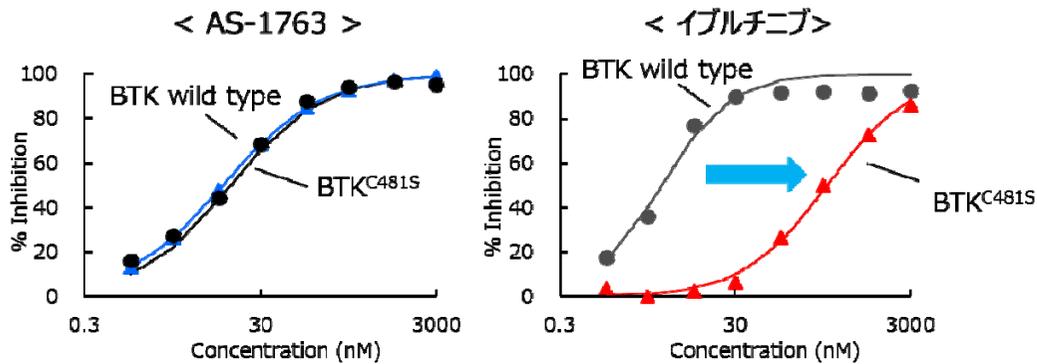
- 低分子化合物
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- イブルチニブ耐性BTK(C481S変異体)にも強い阻害活性を示す
- 経口投与可能
- BTK野生型およびC481S変異型細胞株を使ったリンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果
- がん免疫モデルにおいても効果を発揮
- 自己免疫疾患にも適用拡大可能
- 2021年2月にCTA承認
- 中華圏の権利をライセンスしたバイオノバ社による中国で治験データを活用し、臨床試験を加速予定

- ✓ フェーズ1実施に必要なすべてのGLP試験が終了いたしました。
- ✓ 2021年2月にオランダでCTA（欧州における臨床試験許認可申請）の承認を受けました。
- ✓ 2021年上期中に健康成人を対象とした第I相臨床試験（SAD）を開始する計画です。
- ✓ SAD試験終了後に米国にて患者を対象としたフェーズ1b試験を開始するため、現在、INDに必要な書類の準備を進めています。

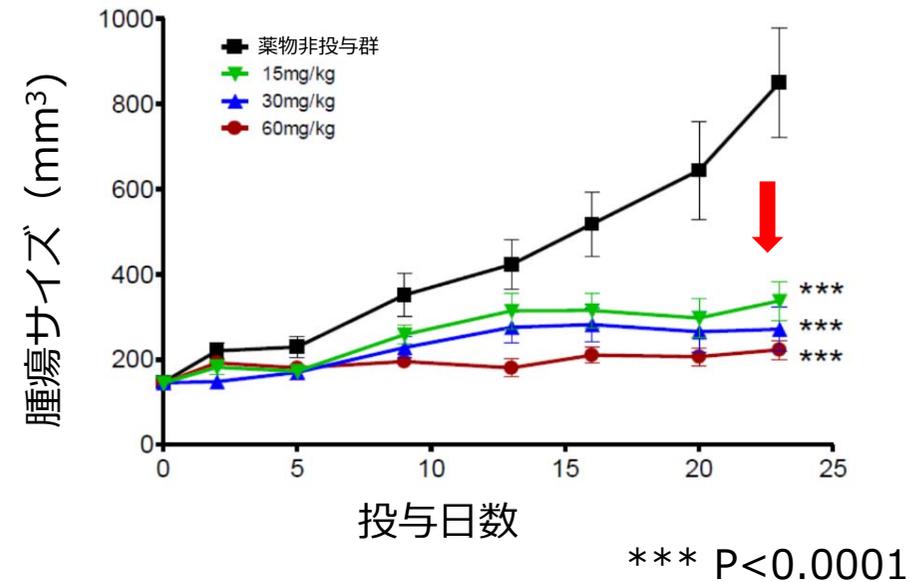
◆ 非常に高いキナーゼ選択性



◆ 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



AS-0141 : がんを対象に開発

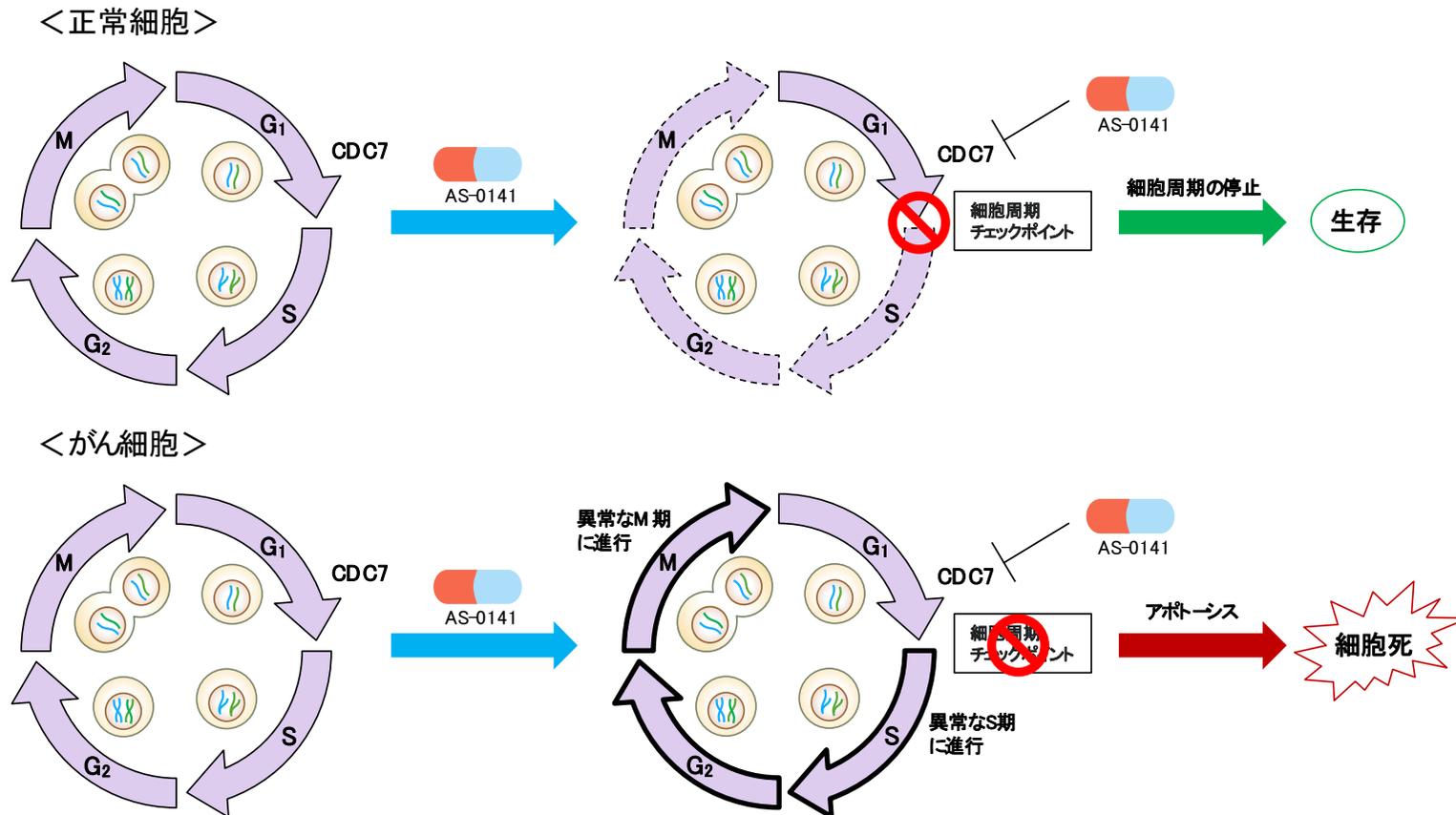
- 低分子CDC7阻害剤
- 高いキナーゼ選択性
- ファーストインクラスの可能性
- 様々ながん種のがん細胞の増殖を強く阻害
- 各種ヒト腫瘍移植動物モデルにおいて優れた抗腫瘍効果
- 米国におけるIND申請完了
- 日本国内での治験を準備中（2021年上半期）

- ✓ 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。
- ✓ 固形がんを対象とした第I相臨床試験の治験計画届を独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出し、2021年2月にPMDAによる調査が終了しています。
- ✓ 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、2021年上期中に日本国内で臨床試験を開始する準備を進めています。

IND : 米国における新薬臨床試験開始届

■ 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。



創薬支援事業

- コロナ禍にも関わらず創薬支援事業として、過去最高の1,080百万円の売上高を達成
 - ✓ 日本：前期比7.2%増
 - ✓ 北米：前期比3.8%増

- 新規サービスの好調な立ち上がり
 - ✓ プロメガ社の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前期から2.3倍となる46百万円に拡大

- 従来製品のラインナップ拡充
 - ✓ 当社のみが販売中のビオチン化タンパク質製品：14個の新製品を発売
 - ✓ 需要の高い変異体キナーゼタンパク質製品：5個の新製品を発売
 - ✓ アッセイキット：5製品を追加
 - ✓ プロファイリングパネルの拡張：3つの新規アッセイがパネルに追加

2021年の事業計画

＜創薬事業＞

- AS-0871：フェーズIのMADパート開始（下期）
- AS-1763：フェーズIの開始（上期）
- AS-0141：フェーズIの開始（上期）
- 少なくとも1テーマの前臨床段階へのステージアップ

MAD：反復投与用量漸増試験

＜創薬支援事業＞

- 9.2億円の売上達成
- 新製品の発売
- NanoBRETのサービス拡大
- 創薬基盤技術を駆使したコラボレーション型の提案営業の推進

自社創薬 研究開始	創薬力の 具現化	パイプライン価値 の最大化	持続的な利益 の創出
2010～2015	2016～2020	2021～2025	2026～2030
<ul style="list-style-type: none"> 社内研究体制の構築 創薬パイプラインの構築 	<ul style="list-style-type: none"> 複数パイプラインの導出 自社臨床試験の開始 	<ul style="list-style-type: none"> 自社臨床試験でのヒトPOC マイルストーン収入による経営の安定化 	<ul style="list-style-type: none"> 複数パイプラインによるマイルストーン、ロイヤリティ収入



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

<2021年 開発計画>

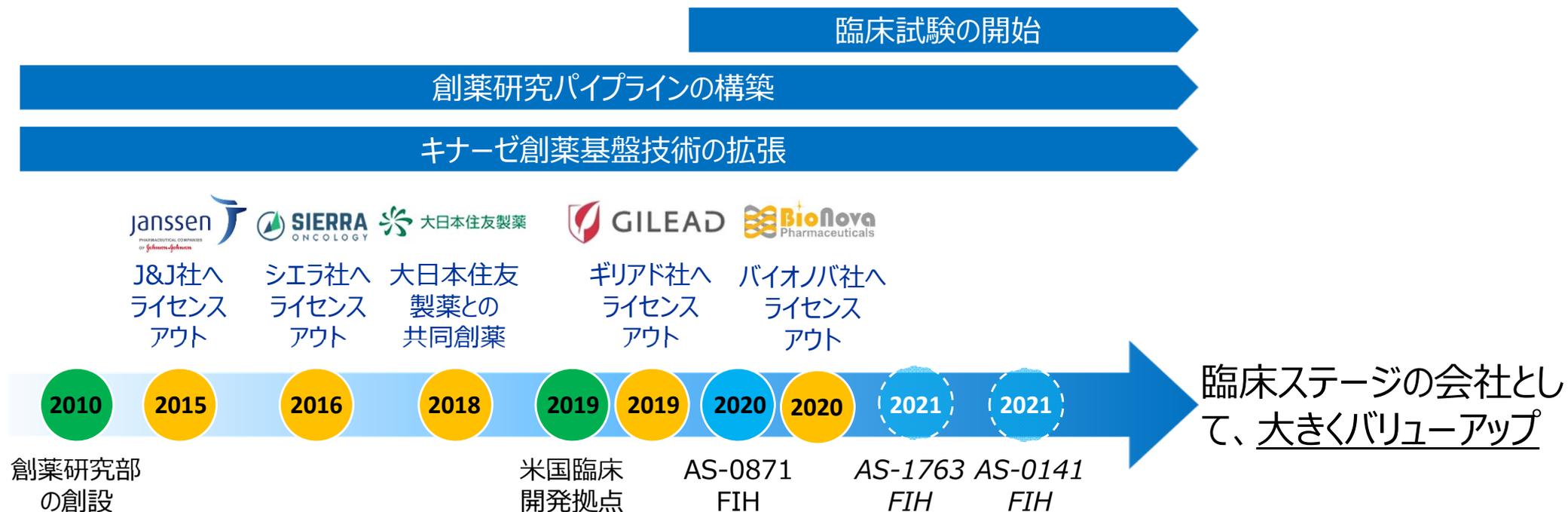
- AS-0871
 - ✓ Ph1 MADパート (2H2021)
- AS-1763
 - ✓ Ph1 (1H2021)
- AS-0141
 - ✓ Ph1 (1H2021)

<収入>

- 大日本住友製薬, Gilead、BioNovaからのマイルストーン収入、ロイヤリティ収入
- マイルストーン収入見込み (総額 最大で約790億円)**
 +
上市後の売上高に応じたロイヤリティ
- 新たな導出に伴う収入

ヒトPOC：新薬候補物質の有効性や安全性がヒトで確認されること。

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



- ◆ 3つのパイプライン（AS-0871、AS-1763およびAS-0141）の臨床試験の実施
- ◆ 臨床開発体制のさらなる強化
- ◆ 新規ステージアップによる開発パイプラインの拡充

2021年12月期 連結業績計画



(百万円)	2020年 実績	2021年 計画	前年比	
売上高	1,133	923	△210 -18.5%	
創薬支援	1,080	923	△157 -14.6%	新型コロナウイルス感染拡大の影響を考慮
創薬	53	-	△53	収入獲得の時期、金額を予想することは困難なため計画に含めず
営業損益	△1,057	△ 1,811	△754	
創薬支援	458	207	△250 -54.7%	
創薬	△1,515	△ 2,019	△503	研究開発費への投資
経常損益	△1,077	△ 1,816	△739	
当期損益	△1,111	△ 1,825	△714	
研究開発費	1,474	1,981	+507 +34.4%	臨床試験費用
設備投資	68	21	△47	研究開発用機器、情報システム機器の新設、更新

(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」「当期損益」の対前年同期増減率は、それぞれ損失を計上する計画のため数値を表示していません。

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。