

# 2021年12月期第1四半期 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

- **CDC7阻害剤AS-0141の国内第I相臨床試験の治験届調査完了  
(2月)**
- **BTK阻害剤AS-1763のオランダにおけるCTA（臨床試験許認可  
申請）承認（2月）**
- **BTK阻害剤AS-1763のフェーズ1試験投与開始（4月）**

- **新型コロナウイルス感染症への対応**
  - ✓ マスク着用、一部社員の在宅勤務、時差通勤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。

# 2021年12月期 第1四半期 連結経営成績の概況



(百万円)	2020年 第1四半期 実績	2021年 第1四半期 実績	前年同期比	2021年 通期計画	要因
売上高	335	<b>231</b>	△103 -31.0%	923	・対通期計画比で順調に進捗 ・前年同期は導出に伴う契約一時金を受領
営業損益	△165	△ <b>291</b>	△126	△1,811	
経常損益	△168	△ <b>284</b>	△115	△1,816	
当期純損益	△184	△ <b>286</b>	△101	△1,825	
研究開発費	328	<b>357</b>	+28 +8.7%	1,981	・臨床試験費用への投資

(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」「当期純損益」はそれぞれ損失を計上しているため、前年同期増減率を表示していません。

(注3) 2021年12月期計画値は、2021年2月12日公表値です。

# 2021年12月期 第1四半期 事業別業績の概況



(百万円)	2020年 第1四半期 実績	2021年 第1四半期 実績	前年比	2021年 通期計画	進捗率	要因
連結売上高	335	<b>231</b>	△103 △31.0%	923	25.1%	
創薬支援	282	<b>231</b>	△50 △18.0%	923	25.1%	対通期計画比で順調に進捗
創薬	53	—	△53	—	—	前年同期は導出に伴い契約一時金を受領
連結営業損益	△165	△ <b>291</b>	△126	△1,811	—	
創薬支援	132	<b>88</b>	△44 △33.3%	207	42.4%	対通期計画比で順調に進捗
創薬	△297	△ <b>379</b>	△82	△2,019	—	臨床試験費用への投資

(注1) 百万円未満は切り捨てて表示しています。

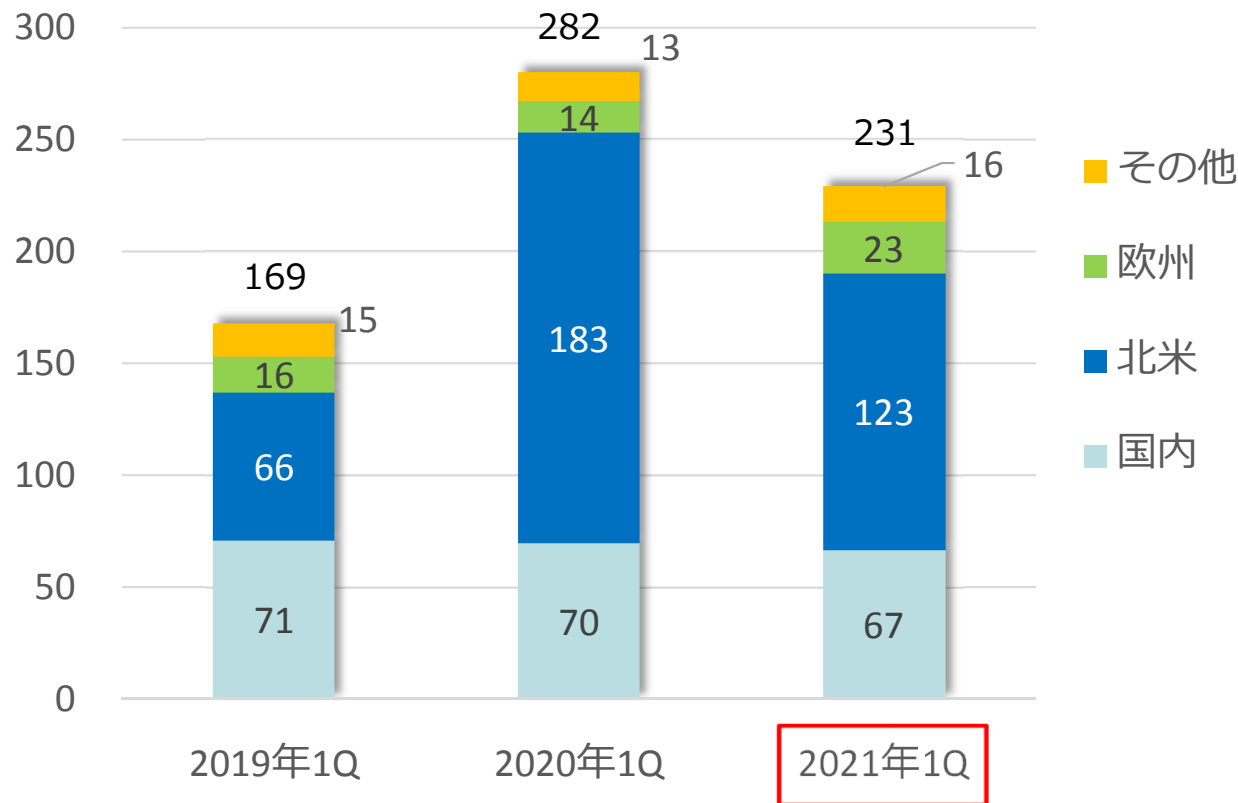
(注2) 連結および創薬事業は営業損失を計上しているため、前年同期増減率を表示していません。

(注3) 2021年12月期計画値は、2021年2月12日公表値です。

# 2021年12月期 第1四半期 創薬支援事業売上高推移



(百万円) 創薬支援事業 地域別累計売上高推移 (連結)



- 国内：前年比4.7%減  
自社開発品であるキナーゼタンパク質およびプロファイリングが堅調。
- 米国：前年比32.3%減  
ギリアド社とのライセンス契約に関連した売上が引き続き寄与。好調だった前年同期比較では減収だが、通期予算との比較では順調に進捗。
- 欧州：前年比61.6%増  
プロファイリング、NanoBRETが寄与。
- その他：前年比20.4%増  
中国向けの売上は引き続き回復傾向。

# バランスシート状況 (連結)











(単位：百万円)

	2020年12月期	2021年12月期 第1四半期末	増減額	増減理由
流動資産	4,708	4,108	△599	
現金及び預金	4,299	3,734	△564	
固定資産	127	119	△7	
資産合計	4,835	4,228	△607	
流動負債	727	442	△285	未払金△194
固定負債	284	235	△48	長期借入金△35、社債△14
負債合計	1,011	677	△333	
純資産合計	3,824	3,550	△273	利益剰余金△286
負債・純資産合計	4,835	4,228	△607	

自己資本比率	79.0%	83.9%
一株当たり純資産	308.0円	286.0円
PBR(株価純資産倍率)	3.9倍	4.7倍
(参考) 当社株価	1,212円	1,354円

(注) 当社株価:各期末終値

## <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		2021年上期 Ph1開始予定	自社
低分子	キナーゼ	がん免疫			
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫			自社/  (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			
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	免疫・炎症疾患			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。

## AS-0871 : 免疫・炎症疾患を対象に開発

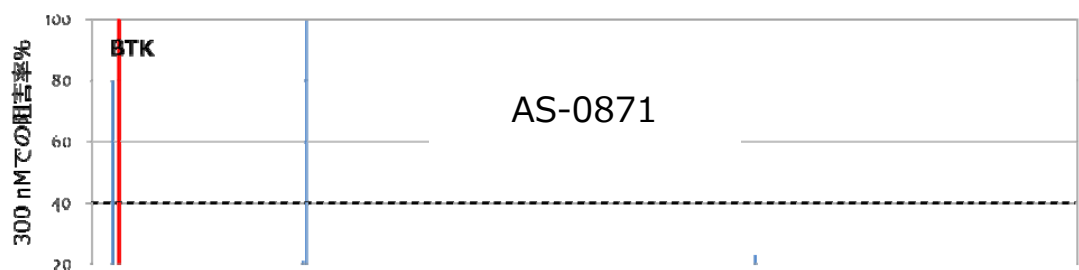
- 低分子BTK阻害剤
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- 経口投与可能
- 関節炎モデルで高い治療効果
- 全身性エリテマトーデスモデルで効果
- 2020年8月からフェーズ1試験を開始し、単回投与試験が完了

- ✓ 2020年8月にオランダでのフェーズ1試験（単回投与用量漸増（SAD）試験）を開始し、全ての用量で安全性および忍容性を確認
- ✓ 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
- ✓ 2021年下半期から新製剤を用いた反復投与用量漸増(MAD)試験を開始する計画





## ◆ 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

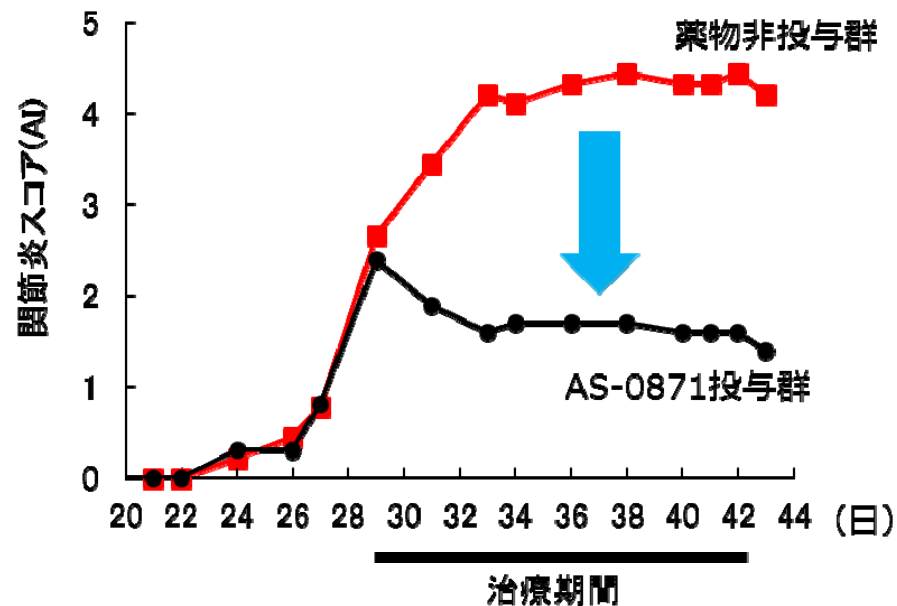


溶媒



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

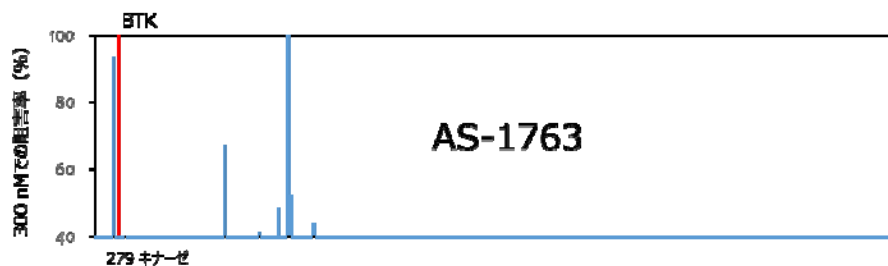
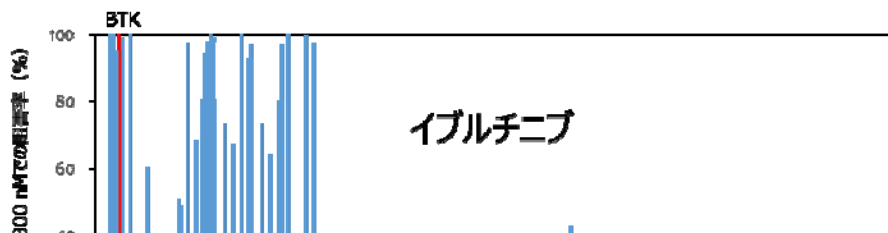


## AS-1763 : 血液がんを対象に開発

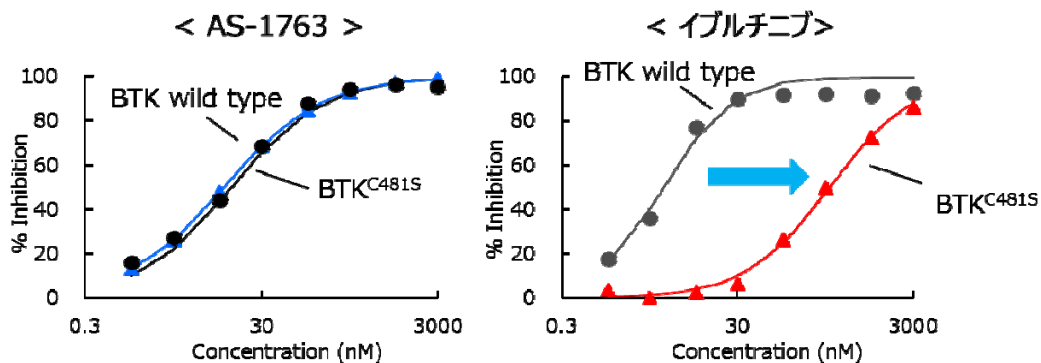
- 低分子化合物
- 非共有結合型
- 高いキナーゼ選択性
- イブルチニブ耐性BTK(C481S変異体)にも強い阻害活性を示す
- 経口投与可能
- BTK野生型およびC481S変異型細胞株を使ったリンパ腫モデルで強力な抗腫瘍効果
- がん免疫モデルにおいても効果を発揮
- 自己免疫疾患にも適用拡大可能
- 中華圏の権利をライセンスしたバイオノバ社による中国で治験データを活用し、臨床試験を加速予定

- ✓ 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）及び倫理委員会の承認を受けました。
- ✓ 2021年4月に健康成人を対象としたフェーズ1試験（SAD試験）における投与を開始しました。
- ✓ SAD試験終了後、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（米国における新薬臨床試験開始届）に必要な書類の準備を進めています。

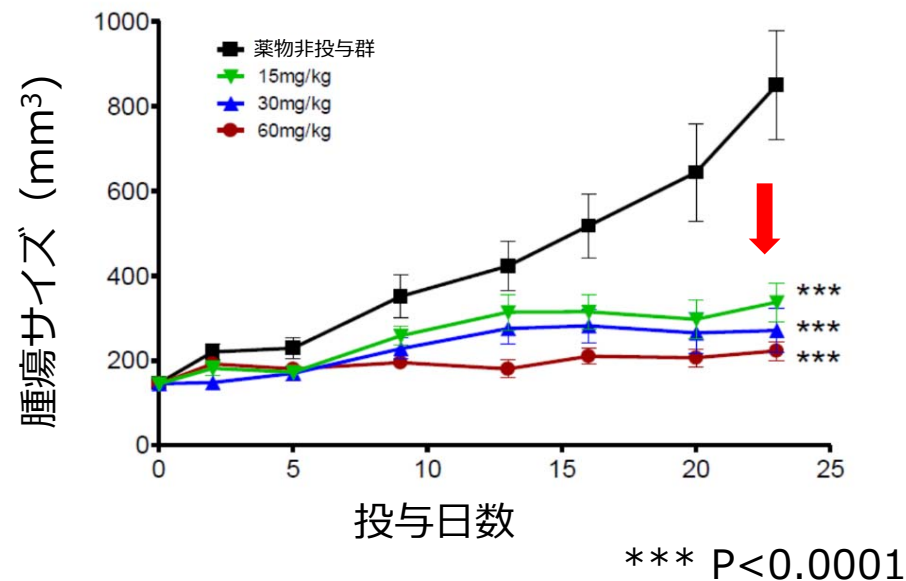
## ◆ 非常に高いキナーゼ選択性



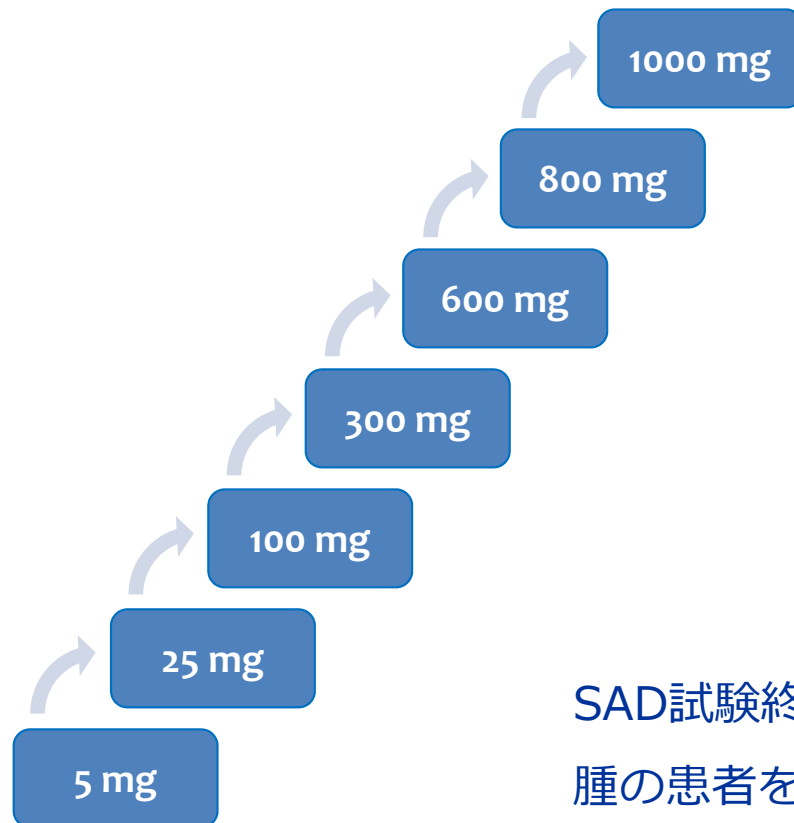
## ◆ イブルチニブ耐性BTK変異導入がん細胞株に対しても強い増殖阻害活性



## ◆ 血液がんモデルにおける高い抗腫瘍効果



## 単回投与用量漸増試験 (SAD)



- プラセボ対照無作為化二重盲検
- 7用量 (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

SAD試験終了後、米国にて慢性リンパ性白血病/B細胞リンパ腫の患者を対象としたフェーズ1b試験を開始予定

\*FIH試験: ヒト初回投与 (First in human)試験

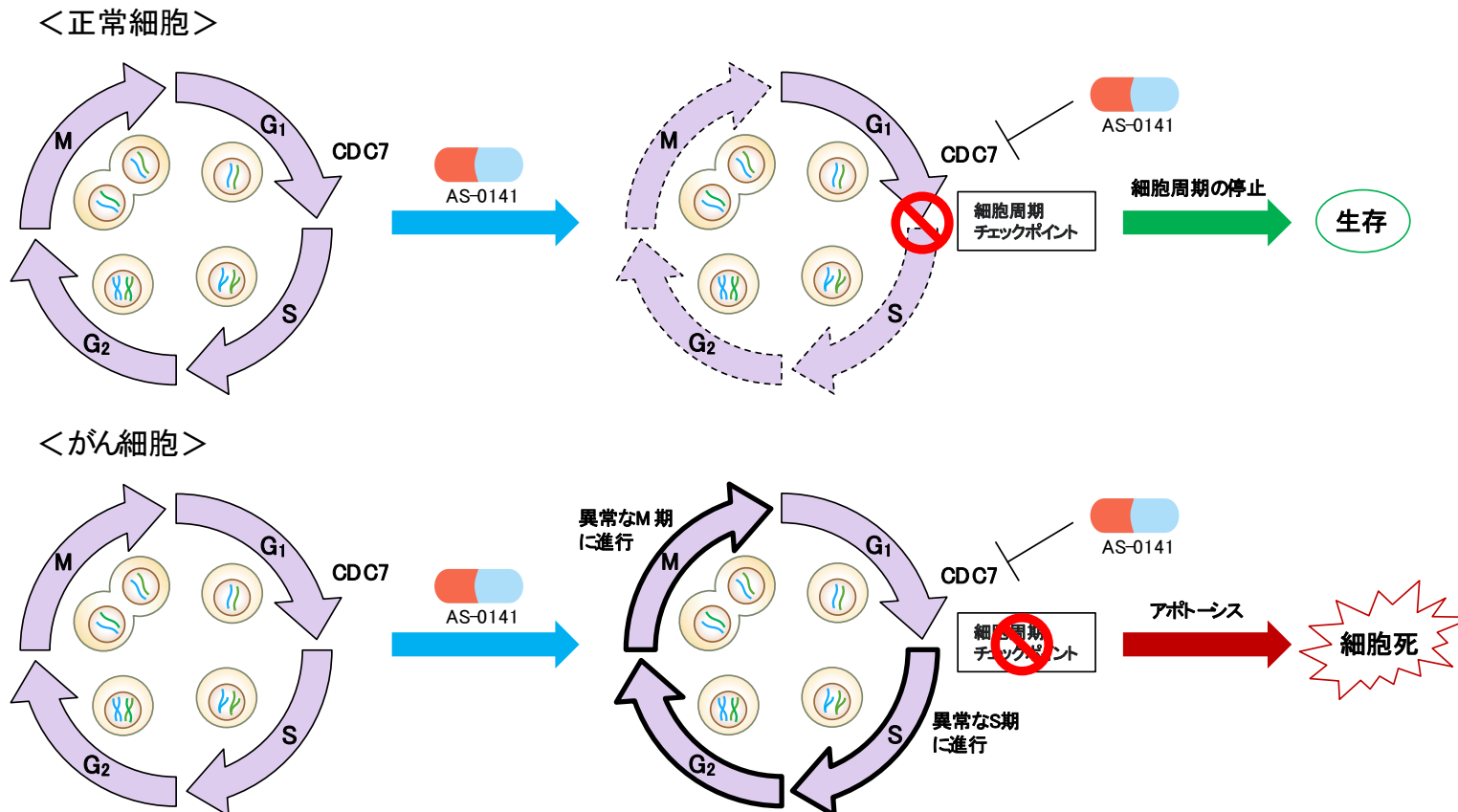
## AS-0141 : がんを対象に開発

- |  |  |
|--|--|
| <ul style="list-style-type: none"><li>● 低分子CDC7阻害剤</li><li>● 高いキナーゼ選択性</li><li>● ファーストインクラスの可能性</li><li>● 経口投与可能</li></ul> | <ul style="list-style-type: none"><li>● 様々ながん種のがん細胞の増殖を強く阻害</li><li>● 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</li><li>● 日本で固形がんを対象としたフェーズ 1 試験を準備中</li></ul> |
|--|--|

- ✓ 固形がん患者を対象としたフェーズ 1 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月に調査が終了しています。
- ✓ 2021年上期に固形がん患者を対象としたフェーズ 1 試験を日本国内で開始する予定です。
- ✓ フェーズ 1 試験は、安全性や最大耐用量等を評価するとともに、フェーズ 2 試験の推奨用量を決定することが主要目的です。

## ■ 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はなく、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。



- 創薬支援事業の売上は前年同期比18.0%減の231百万円
  - ✓ 米国ではギリアド社向け売上が引き続き寄与。
  - ✓ 全地域でほぼ計画通りに進捗。
  
- 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は、さらなるサービス拡大に向けて、フルパネル（192種類のキナーゼ）でのアッセイ受託開始に向けて準備中。
  
- 従来製品のラインナップ拡充
  - ✓ 需要の高い変異体キナーゼのビオチン化タンパク質を含む、6種類のキナーゼタンパク質製品を発売
  - ✓ 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を推進中

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。