

カルナバイオサイエンス株式会社

株主通信

第19期報告書

2021年1月1日～2021年12月31日

CONTENTS

トップメッセージ	P01
当社のビジネスモデル	P07
連結財務諸表／ESGへの取り組み	P09
株式の状況／株主メモ	P10
会社概要	裏表紙

飛躍的な成長を目指した先行投資によって 複数の創薬パイプラインの臨床試験が着実に進展



代表取締役社長
吉野 公一郎

Q₁ 2021年12月期のトピックスは？

世界的なコロナ禍の影響を受けつつ、 創薬事業が著しく進展した1年

まず、新型コロナウイルス感染症に罹患された皆様およびそのご家族、関係者の皆様に心よりお見舞い申し上げます。

当社は、キナーゼ阻害薬等の低分子医薬品にフォーカスし、がんや免疫・炎症疾患など、21世紀に残されたアンメット・メディカル・ニーズに応える画期的な新薬を創製し、病に苦しむ世界中の人々への貢献を目指した研究開発活動を続けています。2021年も前期に続き世界的なコロナ禍の中での事業展開となりましたが、創薬事業では複数の化合物が自社臨床試験（第1相）に入るなど、大きな成果が得られました。一方、新たなキナーゼ阻害薬を創製するために必要なサービスや製品を製薬企業等に提供している創薬支援事業についても、自社開発品であるキナーゼタンパク質が堅調に推移し、ほぼ目標通りの結果を残すことができました。

Q₂ 創薬研究の進捗状況は？

AS-1763、AS-0141の臨床試験を開始し、 臨床試験中のパイプラインが3つに

創薬事業では、当社が創製した3つのキナーゼ阻害剤について著しい進展がありました。

まずBTK阻害剤のうち、免疫・炎症疾患を対象にしたAS-0871については、2020年8月からオランダで開始した第1相試験単回投与用量漸増(SAD)試験において良好なデータを確認できました。血液がんを対象にした次世代型のBTK阻害剤AS-1763についても、2021年4月にオランダで開始した第1相試験SADパートが完了しました。また、固形がんを対象にしたCDC7阻害剤AS-0141についても6月に日本で第1相試験を開始し、着実に進捗しています。

各創薬パイプラインの開発進捗状況

■BTK阻害剤AS-0871について

免疫・炎症疾患を対象にしたAS-0871は、第1相のSAD試験が完了。2021年7月に結果データがまとまり、経口投与において体によく吸収され、B細胞および好塩基球の活性化を強力に抑えることが確認できました。これによって、免疫・炎症疾患の治療に効果が期待されることが示されました。

2021年12月には次の段階として、第1相の反復投与用量漸増(MAD)試験を開始しました。MAD試験の最終段階では、根本的治療法がなくアンメット・メディカル・ニーズが高い慢性特発性蕁麻疹(CSU)を想定した抗原誘発皮膚反応試験も行う予定です。

■BTK阻害剤AS-1763について

血液がんを対象としたBTK阻害剤AS-1763は、オランダで実施した第1相のSADパートが7月に投与完了。安全性、忍容性、および良好な薬物動態プロファイルを確認し、12月にはバイオアベイラビリティ(BA)パートの投与を開始しました。

2022年中には、慢性リンパ性白血病およびB細胞リンパ腫の患者を対象とした第1b相試験を米国で実施する予定で、IND(新薬臨床試験開始届)を申請する準備を進めています。

血液がんでは、B細胞の分化・増殖に関わるBTKを抑えれば、がん化した細胞の増殖が止まるということがわかっています。しかし、第一世代のBTK阻害剤に対する薬剤耐性は深刻な問題となっており、耐性を生じた患者さんにも効く次世代型のBTK阻害剤が強く求められています。当社が創製したAS-1763は、その期待に応えるもので、より多くの血液がんの患者さんに新たな治療選択肢を提供できるよう、開発を進めていきます。



トップメッセージ

■CDC 7 阻害剤 AS-0141 について

AS-0141 は、さまざまな固形がんを対象とした治療薬として開発を進めており、6月に日本で第1相臨床試験を開始し、着実に進捗しています。試験は用量漸増パートと拡大パートを計画しており、2022年には、より多くの患者さんで本剤の推奨用量での安全性および有効性を評価する拡大パートを実施する予定です。CDC7阻害剤は、これまでの抗がん剤とは異なる作用機序を有し、画期的な抗がん剤となることが期待されています。

■ライセンスアウト(導出)した創薬プログラムについて

すでに他社に導出済みの創薬プログラムについても、進捗がありました。当社は、2019年6月に新規がん免疫療法の創薬プログラムについて米ギリアド社とライセンス契約を締結しています。この開発ステージが進み、2021年

12月に最初のマイルストーン・ペイメントを受領しました。

このことは当社の化合物の品質の高さが証明され、開発が非常にスムーズかつ着実に進んでいるということを示しています。がんの治療薬として大きな可能性を秘めた画期的な薬剤の開発を進めるために、今後もギリアド社と協業していきたいと考えています。

また、精神神経疾患に関わるキナーゼ阻害剤に関して、大日本住友製薬と2018年3月に締結した共同研究ならびに開発および事業化に関する契約の共同研究期間が延長されることになりました。当初2022年3月までだった共同研究期間の延長は、研究の着実な進捗を示しています。

さらに、2022年2月には当社が創製し、第4四半期に前臨床開発段階にステージアップした新規STINGアンタゴニストを米ブリッケル・バイオテック社に導出しました。

■創薬事業の研究開発テーマと進捗状況

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	米ギリアド社に導出		Gilead Sciences
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	大日本住友製薬と共同研究		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アンタゴニスト	免疫・炎症疾患	米ブリッケル・バイオテック社に導出		Brickell Biotech

※2022年2月現在
※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。



2021年12月期の業績の総括は?

創薬事業は先行投資を積極的に推進 創薬支援事業はほぼ目標どおりに着地

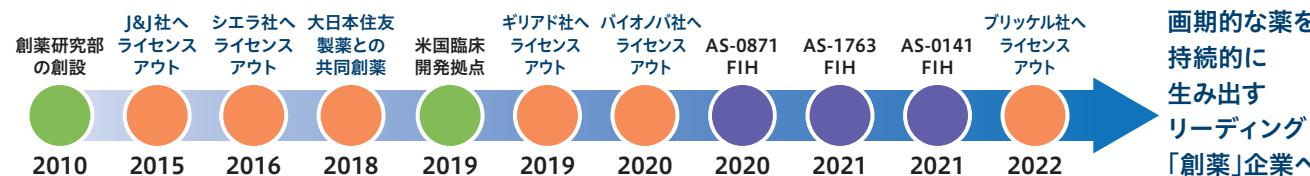
創薬事業では、ギリアド社から受領したマイルストーン収入が売上に寄与しました。次世代パイプライン構築のための探索研究を推進する一方、今期も臨床試験への積極的な先行投資により、研究開発費は1,713百万円(前連結会計年度比25.0%増)となりました。以上の結果、創薬事業の売上高は1,128百万円(前連結会計年度は53百万円)、営業損失は820百万円(前連結会計年度は1,515百万円の営業損失)となりました。

創薬支援事業は、自社開発品で利益率の高いキナー

ゼタンパク質製品が好調でした。国内における売上は期初予想を下回りましたが、北米における売上が期初予想より好調に推移しました。売上高は889百万円(前連結会計年度比17.7%減)、営業利益は289百万円(前連結会計年度比37.0%減)となりました。

以上の結果、2021年12月期の連結売上高は、2,017百万円(前連結会計年度比78%増)となりました。地域別の売上は、連結ベースで国内売上高が205百万円(前連結会計年度比26.2%減)、海外売上高は1,812百万円(前連結会計年度比111.9%増)となりました。損益面については、営業損失が531百万円(前連結会計年度は1,057百万円の営業損失)、経常損失が522百万円(前連結会計年度は1,077百万円の経常損失)、親会社株主に帰属する当期純損失は534百万円(前連結会計年度は1,111百万円の親会社株主に帰属する当期純損失)でした。

キナーゼ阻害薬等の低分子医薬品にフォーカスし、病に苦しむ全世界の患者様に貢献できる革新的医薬品の研究開発を進め、新たなキナーゼ阻害薬創製に必要な製品・サービスを製薬企業に提供



- AS-0871、AS-1763、AS-0141の臨床試験、その後の導出による収入獲得
- 導出先からのマイルストーン収入、販売ロイヤリティの獲得による経営の安定化
- 次世代のパイプラインの構築

※FIH: ヒトへの初めての投与

Q₄ 今後の成長戦略は?

飛躍的な成長の実現に向けて 研究開発の加速とパートナーングに注力

当社は、導出済みの複数のパイプラインからのマイルストーンやロイヤリティ収入によって収益拡大を図り、飛躍的な成長を遂げるという中長期的な成長戦略を掲げています。この成長戦略に沿って、新型コロナウイルスの感染拡大という厳しい状況下でも、着実に臨床試験を進め、創薬パイプラインの価値を最大限に高めるべく取り組んでいます。

当社は、比較的早期に有効性が確認できる「がん領域」は最大第II相試験まで実施してパイプライン価値の向上を目指し、それ以外の疾患は第I相試験もしくは前臨床試験まで実施し、早期にライセンスアウトすることを基本方針としています。この方針に基づき、各領域について

専門性の高い企業への導出を目指したパートナーング活動についても引き続き実施していきます。

同時に、上市の成功確率を高めるためには、次に前臨床試験を開始できる新たな化合物を創出していかなければなりません。新たなパイプライン創出や新規創薬テーマ発掘のため、複数の研究機関・大学等と実施している共同研究もさらに積極的に進めていきます。

個性を発揮して働ける環境づくりを実現し、 革新的医薬品の開発へ

当社がフォーカスしている低分子化合物の創薬研究開発には、化合物の合成や評価するための遺伝子組み換え技術など、多様な技術を結集させる必要があります。その点、当社は製薬企業で研究や臨床試験の経験を積んだトップクラスの人材によって構成されており、この高い人材レベルが当社の大きな強みとなっています。

こうした優秀な人材が、「いい薬を創りたい」「病気を治療したい」という高い志を持ち続け、やりがいを持って働ける社内環境をつくることは、革新的医薬品の開発につながると考えており、フレックスタイムの導入や、子どもが生まれても安心して育てられるような時短勤務を含めた育児支援策など、さまざまな制度・仕組みを整えています。これまで育児休暇を取得した社員のほとんどは、復帰してキャリアを継続しています。

当社は、「社会の持続的な成長」と「中長期的な企業価値の向上」の実現のためには、社員が個性を発揮して、安心して働き続けることができる環境づくりが企業の責務だと考えており、今後も環境整備に取り組んでいきます。

株主の皆様へメッセージ

当社は、コア技術であるキナーゼ創薬基盤技術をもと

に、がんや免疫・炎症疾患をはじめ、いまだ有効な治療法がない疾患に苦しむ患者さんへ、1日も早く画期的な新薬を届けるために、日々挑戦を続けています。その成果として、これまで世界的な製薬企業へ複数のパイプラインを導出してきました。すでに1,000億円以上の売り上げが期待できるブロックバスターとなり得る化合物を次々と生み出し、臨床試験を開始していることは大きな強みです。

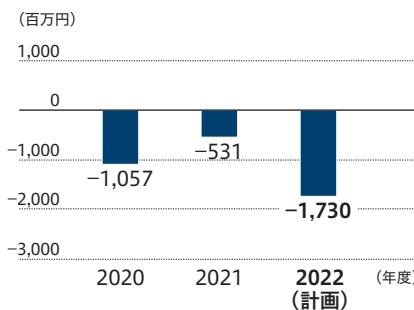
この先も新型コロナウイルスの感染拡大は先が見えませんが、研究資材や物流ルートの確保など、コロナ禍が続いても大きな影響は出ないような対策をすでに講じています。今後も開発の陣容強化を図りながら着実に研究と臨床開発を進め、グローバルに展開できる低分子医薬品を創ることができる創薬ベンチャーとして、企業価値を高めていきたいと考えています。

株主の皆様には、長い目で当社の研究や臨床開発の進捗に注目していただき、引き続きご支援を賜りますようお願い申し上げます。

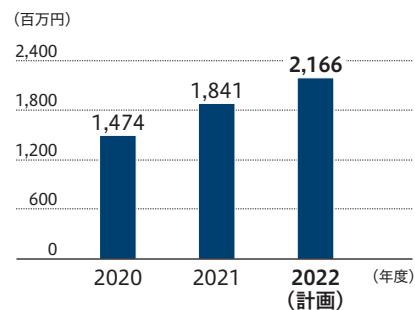
■ 連結売上高計画



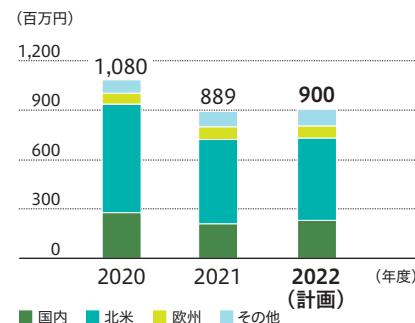
■ 連結営業損益計画



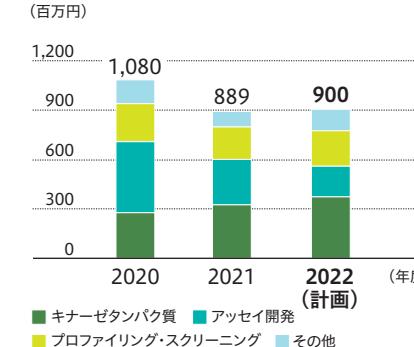
■ 研究開発費計画 (全社)



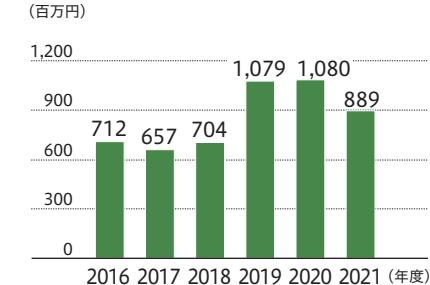
■ 創薬支援事業売上計画 (地域別)



■ 創薬支援事業売上計画 (製品別)



■ 創薬支援事業長期売上高推移



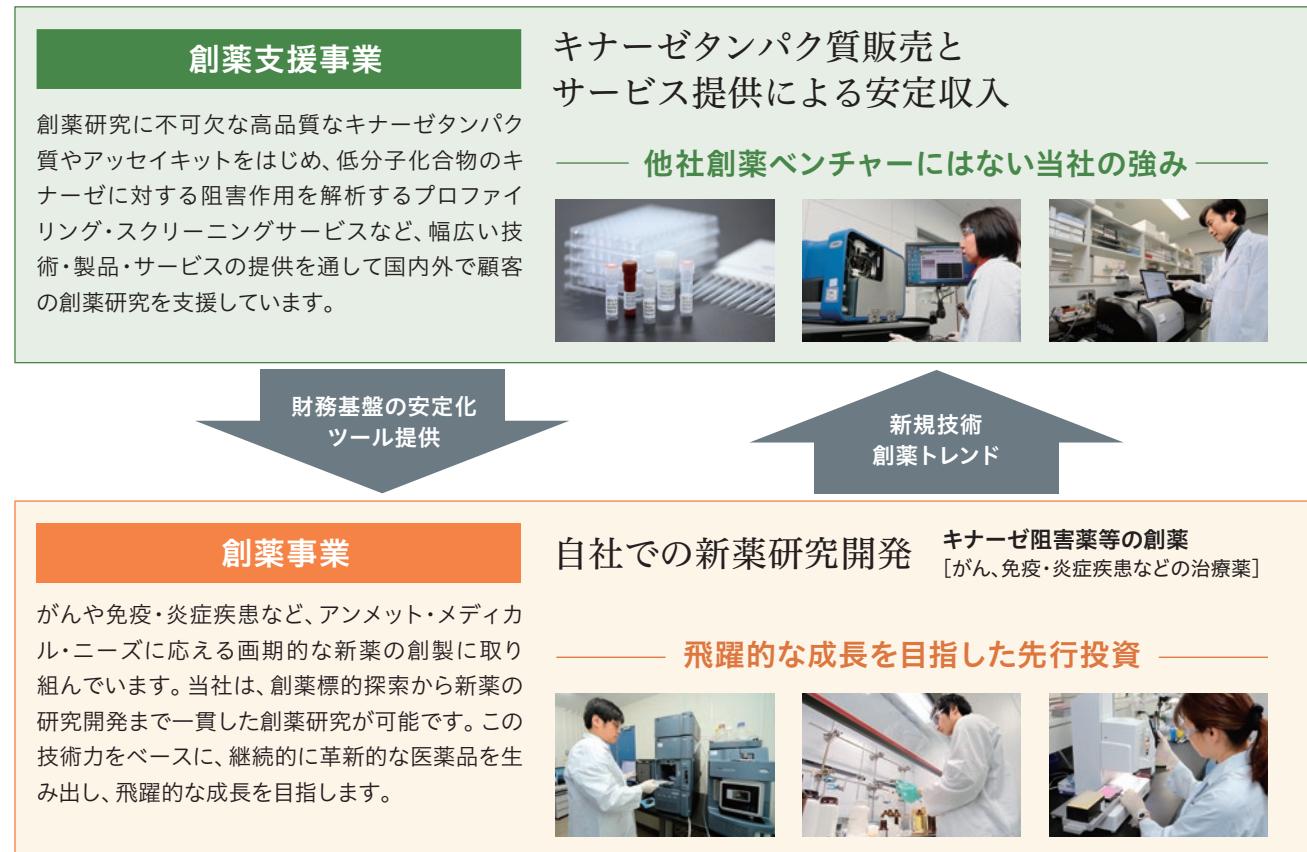


当社のビジネスモデル

当社の事業

「創薬支援事業」と「創薬事業」を両輪にした独自のビジネスモデルによって、「安定」と「成長」を両立させながらオンリーワン企業として事業拡大を目指す

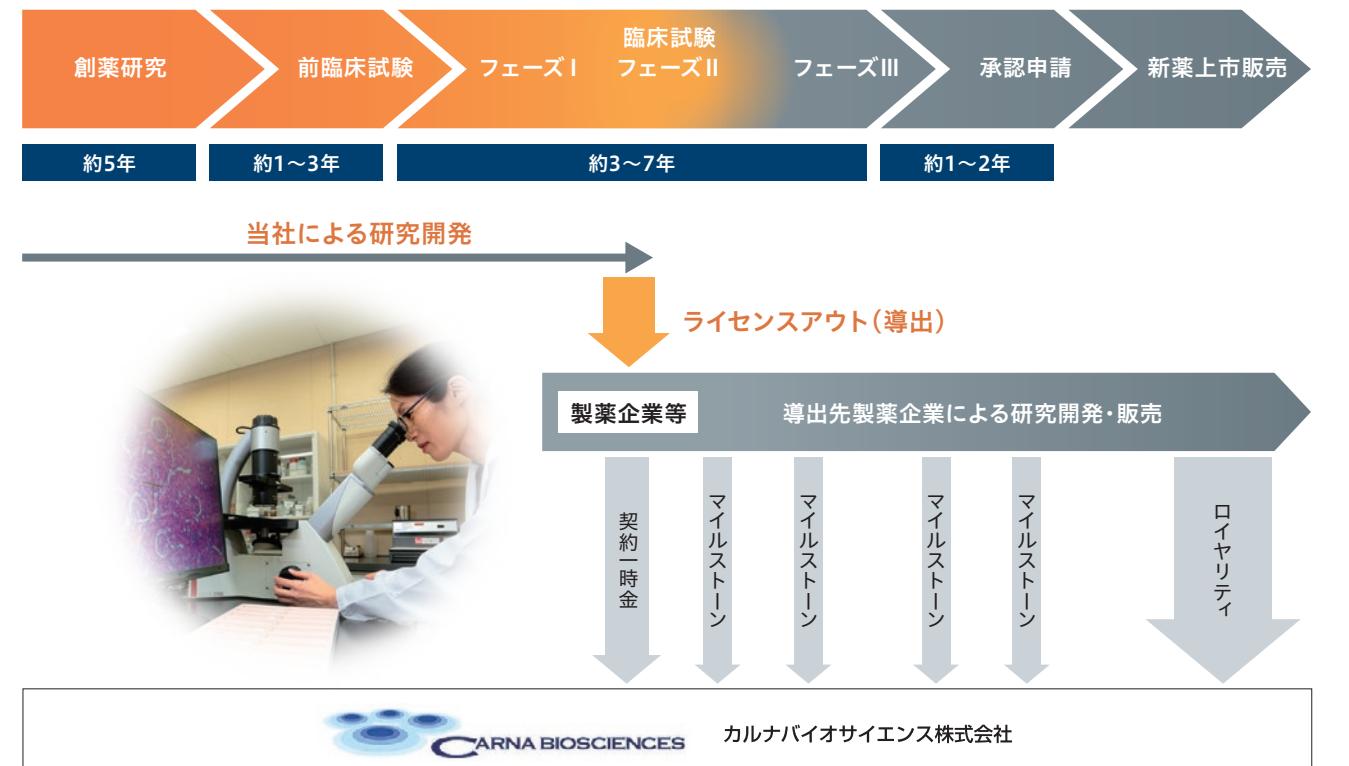
キナーゼタンパク質の販売やプロファイリング・スクリーニングの受託を担う「創薬支援事業」で安定的にキャッシュフローを創出し、これを「創薬事業」の研究費や臨床開発費用に充て、革新的な新薬の開発につなげています。



創薬事業の収益モデル

画期的な医薬品候補化合物を次々と生み出し、自社臨床試験によりパイプラインの導出価値の最大化を目指す

当社の創薬事業のビジネスモデルは、当社が創製した創薬パイプラインをグローバルな製薬企業等にライセンスアウトして収益を得るというもの。医薬品候補化合物の価値を高めるため、比較的早期に有効性が確認できるがん領域については最大フェーズIIまで、その他の領域はフェーズIまたは前臨床試験まで自社で開発。製薬企業等に導出後、「契約一時金」、各研究・開発段階での「マイルストーン収入」、新薬上市後の「ロイヤリティ収入」を得ていくモデルです。



連結財務諸表

連結貸借対照表

(単位:千円)

科目	前連結会計年度 2020年12月31日現在	当連結会計年度 2021年12月31日現在
(資産の部)		
流動資産	4,708,193	5,318,487
固定資産	127,162	114,073
有形固定資産	53,330	51,574
無形固定資産	3,613	2,738
投資その他の資産	70,218	59,760
資産合計	4,835,356	5,432,560
(負債の部)		
流動負債	727,194	774,655
固定負債	284,151	342,332
負債合計	1,011,346	1,116,988
(純資産の部)		
株主資本	3,830,169	4,291,942
資本金	558,829	1,056,953
資本剰余金	4,310,038	4,808,163
利益剰余金	△1,038,476	△1,572,951
自己株式	△222	△222
その他の包括利益累計額	△9,709	13,789
純資産合計	3,824,010	4,315,572
負債純資産合計	4,835,356	5,432,560

ESGへの取り組み

カルナバイオサイエンスは、「社会の持続的な成長」と「中長期的な企業価値の向上」の実現のため、環境(Environment)、社会(Society)、ガバナンス(Governance)について重要な課題であると認識し、事業活動に取り組んでいます。

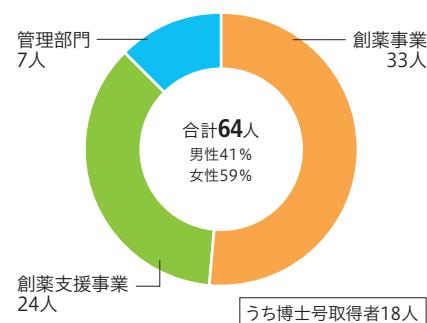
革新的
医薬品開発で
医療に貢献

個性を発揮して
働ける環境づくり

透明性の高い
企業統治

従業員構成

(連結:2021年12月31日現在)



株式の状況/株主メモ (2021年12月31日現在)

株式の状況

発行可能株式総数	30,000,000株
発行済株式の総数	13,313,400株
株主数	9,966名

大株主

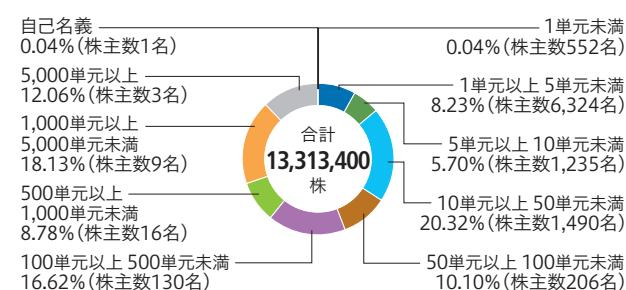
株主名	持株数 (株)	持株比率 (%)
株式会社SBI証券	595,060	4.47
MSIP CLIENT SECURITIES	505,700	3.79
小野薬品工業株式会社	504,500	3.79
STATE STREET BANK AND TRUST COMPANY 505019	438,900	3.29
松井証券株式会社	407,700	3.06
BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNYM GCM CLIENT ACCTS M ILM FE	329,956	2.47
吉野 公一郎	314,500	2.36
楽天証券株式会社	273,300	2.05
マネックス証券株式会社	220,061	1.65
GMOクリック証券株式会社	154,800	1.16

株式・株主分布

所有者別内訳



所有株式数別内訳



株主メモ

事業年度	1月1日から12月31日まで
定時株主総会	3月開催
基準日	12月31日
上場証券取引所	東京証券取引所 JASDAQ(グロース)
証券コード	4572
株式の売買単位	100株
公告方法	電子公告により、当社ホームページに掲載します。 https://www.carnabio.com/japanese/ir/notification.html ただし、事故その他やむを得ない事由によって電子公告をすることができない場合は、日本経済新聞に掲載します。
株主名簿管理人および特別口座の口座管理機関	東京都千代田区丸の内一丁目4番1号 三井住友信託銀行株式会社
株主名簿管理人事務取扱場所	東京都千代田区丸の内一丁目4番1号 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部
(郵便物送付先)	〒168-0063 東京都杉並区和泉二丁目8番4号 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部
(電話照会先)	☎ 0120-782-031
(インターネット/ホームページURL)	https://www.smtb.jp/personal/procedure/agency/

■ 特別口座について

株券電子化前に「ほふり」(株式会社証券保管振替機構)を利用されていなかった株主様には、株主名簿管理人である上記の三井住友信託銀行株式会社に口座(特別口座といいます。)を開設しております。特別口座についてのご照会及び住所変更等のお届出は、上記の電話照会先をお願いいたします。

カルナ<CARNA>の由来

当社の社名である「カルナ(Carna)」はローマ神話の「人間の健康を守る女神」です。また「身体の諸器官を働かせる女神」などとも言われています。

当社は生命科学「バイオサイエンス(Bioscience)」を探究することで「人々の生命を守り、健康に貢献することを目指す」ことを基本理念としています。

当社はまさに「カルナ(Carna)」でありたいと願っています。



ホームページのご案内

当社の企業情報やIR情報を掲載しています。
お問い合わせ等は「IRお問い合わせ」ページからお受けしています。

トップページ



IR情報ページ

最新のIRニュース、IR情報など詳しくはこちらよりご確認ください。

<https://www.carnabio.com/japanese/ir/news/2022.html>

見直しに関する注意事項

当報告書の記載内容のうち、歴史的事実でないものは将来に関する見直し及び計画に基づいた将来予測です。

これらの将来予測には、リスクや不確定な要素などの要因が含まれており、実際の成果や業績などは記載の見直しとは異なる場合がございます。

カルナバイオサイエンス株式会社

〒650-0047

神戸市中央区港島南町1丁目5番5号 BMA 3F

TEL 078-302-7039(代表) FAX 078-302-6665

URL <https://www.carnabio.com>

会社概要 (2021年12月31日現在)

商号	カルナバイオサイエンス株式会社
設立	2003年4月10日
資本金	10億5,695万円
事業内容	創薬事業：キナーゼ阻害薬等の研究開発 創薬支援事業：キナーゼ阻害薬の創薬研究に関する製品・受託サービスの提供
従業員数	61名
所在地	神戸市中央区港島南町1丁目5番5号 BMA 3F
上場市場	東京証券取引所JASDAQ グロース(証券コード4572)

役員 (2022年3月24日現在)

代表取締役社長	吉野 公一郎	社外取締役(監査等委員)	有田 篤雄
取締役	相川 法男	社外取締役(監査等委員)	小笠原 嗣朗
取締役	澤 匡明	社外取締役(監査等委員)	高柳 輝夫
取締役	山本 詠美	社外取締役(監査等委員)	松井 隆雄

海外子会社 (2022年3月24日現在)

商号	CarnaBio USA, Inc.
代表者	山本 詠美
所在地	米国マサチューセッツ州、ネイティック(ボストン市近郊)
主な業務内容	北米における創薬支援事業(キナーゼ創薬研究等に関する製品・サービスの販売・提供)及び創薬事業(キナーゼ阻害薬等の臨床開発)
資本金	1,400千ドル
従業員数	3名



ユニバーサルデザイン(UD)の考えに基づいた見やすいデザインの文字を採用しています。



この報告書は環境にやさしいベジタブルインキを使用しています。