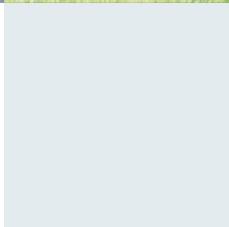
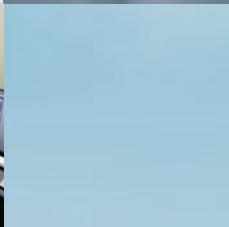
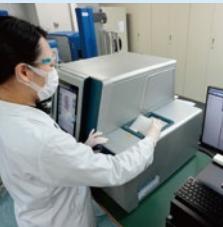
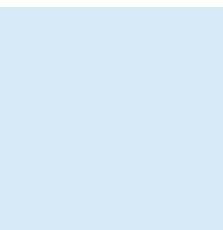


株主通信

第22期報告書

2024年1月1日～2024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

独自のキナーゼ技術を武器に 「がん」「免疫・炎症疾患」領域 にアプローチ 戦略的創薬開発で グローバル企業への導出を目指す



Q₁ 2024年12月期のトピックスは？

臨床試験で競合品にない特長を確認 主要パイプラインの開発に手応え

当社は、キナーゼ阻害剤(がんや免疫・炎症疾患などの重要因子である酵素「キナーゼ」の活性を阻害する薬)をはじめとする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創製を目指し、研究開発を続けています。前年に続き、自社開発中の3つのパイプライン、ギリアド社に導出済みのパイプラインともに進展がありました。いずれも、臨床試験で先行する競合品にない特長が認められ、アンメット・メディカル・ニーズを満たすポテンシャルがあることに手応えを感じています。

なかでも、血液がんをターゲットに米国で臨床試験中の次世代型BTK阻害剤docirbrutinib(AS-1763)は、フェーズ1b試験の初期結果において、既存のBTK阻害剤が効かなくなった患者様を含め、優れた有効性と高い安全性と忍容性(副作用の程度)が確認できたことから、共同研究者とともに2024年12月に開催されたアメリカ血液学会(ASH)の年次総会でその結果を発表。大いに注目を集めました。

また、免疫・炎症疾患領域のBTK阻害剤sofnobrutinib

代表取締役社長
吉野 公一郎

(AS-0871)は、オランダで健康成人を対象としたフェーズ1試験が終了し、良好な結果を得るとともに、他のBTK阻害剤との差別化に重要な非臨床試験(胚・胎児発生毒性試験)を実施。本試験において、胎児に異常は認められませんでした。既存のBTK阻害剤の多くは、催奇形性(妊娠中に薬剤を服用した場合に胎児に奇形を起こす性質)が認められるため女性への使用が制限されており、当社の化合物がその問題を回避できる可能性が出てまいりました。

さらに、米国・ギリアド社に導出したDGK α 阻害剤(GS-9911)は、固形がん患者を対象としたフェーズ1試験が順調に進んでいるとの報告を受けています。ギリアド社との契約上、当社から詳細を伝えることはできませんが、次なる展開に大きな期待を寄せています。

Q₂ 創薬研究の進捗状況と今後の展開は？

戦略的な治験デザインと非臨床試験で 開発品のポテンシャルを引き出す

創薬事業では、当社がゼロから創製したがん領域と免疫・炎症疾患領域の3つのキナーゼ阻害剤およびギリアド社に導出したDGK α 阻害剤(GS-9911)の開発に著しい進展がありました。

〈がん領域〉 2剤

■BTK阻害剤 docirbrutinib(AS-1763)

docirbrutinib(AS-1763)は、B細胞性悪性腫瘍などの血液がんをターゲットに開発中の次世代型BTK阻害

剤で、既存のBTK阻害剤が効かなくなった患者様あるいは副作用で投与継続できなくなった患者様にも有効な薬剤となるよう戦略的に開発を進めているパイプラインです。

オランダでのフェーズ1試験結果を踏まえ、2023年8月より米国・テキサス大学MDアンダーソンがんセンターを含む多施設共同試験として患者様を対象としたフェーズ1b試験を実施。用量漸増パート(薬の量を徐々に増やして評価)の途中経過において、高い安全性と忍容性、並びに治療効果が期待できる十分なデータが得られたことから、治験責任医師の合意のもと、2024年10月に、前倒しで用量拡大パート(特定の患者群における薬剤の有効性を評価)を開始しました。

用量漸増パートは2024年12月に終了し、優れた抗腫瘍効果と高い安全性が確認できました。重篤な副作用が非常に少なく、使いやすい薬剤として先生方から好評を得ており、先行薬が副作用で使えなくなった患者様にも効いている点に期待がもてます。

もう一方の用量拡大パートは、戦略的に3つのコホート(患者群)で構成。コホート1は、慢性リンパ性白血病(CLL)、小リンパ球性リンパ腫(SLL)、コホート2はB細胞性非ホジキンリンパ腫(B-cell NHL)、コホート3は、同じ非共有結合型BTK阻害剤であるpirtobrutinibによる治療歴がある患者群、すなわち、同薬で薬剤耐性や不耐が生じた患者様等を対象としています。docirbrutinib(AS-1763)は非臨床試験の結果から同薬剤の耐性が生じた患者様への効果が期待できるため、コホート3の結果に注目しています。

本治験を推進している治験責任医師および基礎研究

トップメッセージ

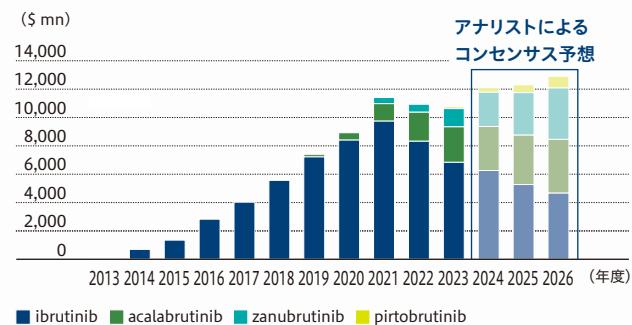
専門医師のモチベーションは高く、試験は順調に進展。医師たちと共に2024年12月のアメリカ血液学会(ASH)年次総会で臨床試験(フェーズ1b試験初期結果)と基礎研究結果についての2つの発表を行い、競合他社も注目するポスター発表となりました。

また、患者様への臨床試験情報の周知の一環として、患者団体であるCLL Society(米国)へスポンサーシップを提供し、治験参加を促すような取り組みも行っています。2025年は実施施設をさらに増やし、臨床試験のスピードアップを図るとともに、並行してパートナーリング活動にも力をいれていく考えです。

血液がんを対象としたBTK阻害剤のグローバル市場規模はすでに1.5兆円を超えています。しかし、先行薬が抱える副作用や変異による薬剤耐性などの課題も多く、それに応える新薬の開発が期待されています。幅広い変異型BTKに対する効果と安全性を武器に、課題に応える薬剤として開発を推進してまいります。

BTK阻害剤の市場規模は1.5兆円を超えている

■ 競合ブロックバスター売上推移



* Source: Clarivate

■ CDC7阻害剤 monzosertib(AS-0141)

固形がんおよび血液がん患者を対象に、日本で開発中の経口剤です。CDC7を選択的に阻害し、がん細胞の増殖を抑制する優れた抗腫瘍効果を示していることから、ファーストインクラス(従来にない新しい作用機序の最初の薬)として期待されています。2021年より、固形がんを対象に、国立がん研究センターでフェーズ1試験を実施中です。現在、用量漸増パートが終了し、2025年の第1四半期には拡大パートに入る見通しです。

monzosertib(AS-0141)は、基礎研究の結果から固形がんだけでなく、血液がんに対しても高い抗腫瘍効果が確認されていたことから、血液がん患者を対象とした治験も開始。現在、血液がんの一種である急性骨髄性白血病(AML)等の患者様を対象とした用量漸増パートを進めています。より多くの患者様に治験に参加いただき、開発を推進していく予定です。

■ docirbrutinib (AS-1763) の戦略

- 高い安全性を武器に、不耐患者を獲得していく
- 幅広い変異型BTKに対する効果を武器に、既存薬が効かなくなった患者を獲得していく

* 不耐: 投与した薬剤の副作用に患者が耐えられなくなり、投与継続が困難になること
* 薬剤耐性: 治療中に薬剤が効かなくなる状態をいい、分子標的薬においては、一つのメカニズムとして、薬剤のターゲットであるタンパク質に何らかの変異(薬剤耐性変異)が生じることが知られている

〈免疫・炎症疾患領域〉 1 剤

■ BTK阻害剤 sofnobrutinib(AS-0871)

自己免疫性炎症疾患の治療を目指す経口剤として、まずは慢性特発性蕁麻疹(CSU)でPOC(Proof of Concept: 研究段階で構想した薬効がヒトでも有効性を持つこと)

確認)を獲得し、リウマチ、全身性エリテマトーデス、多発性硬化症などの自己免疫疾患への適応拡大を目指していけるよう開発を進めています。

慢性特発性蕁麻疹は世界人口の約1%が罹患しており、根治的治療がなく重症度の高い患者様は、QOLが

■ 臨床開発中のパイプライン

化合物	標的	対象疾患	概況
docirbrutinib (AS-1763)	BTK	血液がん	フェーズ1b試験(米国)を実施中 多施設共同試験 主導: テキサス大学MDアンダーソンがんセンター 白血病科教授 Nitin Jain 医師 ●前倒しで、用量拡大パートの投与を開始(10月) ●用量漸増パートを完了(12月) ●アメリカ血液学会(ASH2024)において有望な初期結果を発表(12月)
sofnobrutinib (AS-0871)	BTK	免疫・炎症疾患	●フェーズ1試験(健康成人対象、オランダ)を完了 安全性、忍容性、並びに良好な薬物動態プロファイルと薬力学作用を確認 ●他のBTK阻害薬との差別化に重要な非臨床試験(胚・胎児発生毒性試験)を実施、良好な結果を入手 ●パートナーリング活動を実施中
monzosertib (AS-0141)	CDC7/ASK	固形がん 血液がん	フェーズ1試験(がん患者対象、日本) ●固形がん 用量漸増パートを完了、用量拡大パートの患者募集を開始 ●血液がん 用量漸増パートを実施中 (2025年1月) 治験実施施設: 国立がん研究センター中央病院及び東病院 がん研有明病院(固形がん: 用量拡大パートより参加)

■ 導出済みパイプライン

	化合物 (対象疾患)	進捗状況	契約一時金	マイルストーン 総額	ロイヤリティ	契約地域	契約時期	受領済マイルストーン
DGKα阻害剤 ギリアド社へ導出	GS-9911 (がん免疫)	フェーズ1試験	20M\$ (約21億円)	450M\$ (約675億円)	上市後の売上高に応じた一定の料率	全世界	2019年6月	マイルストーン2回達成 計15M\$ (約18億円)
住友ファーマとの共同研究※	— (精神神経疾患)	前臨床候補化合物を探索中	80百万円 (契約一時金+研究マイルストーン)	約106億円	上市後の売上高に応じた一定の料率	全世界	2018年3月	

※住友ファーマとの共同研究は、2025年3月27日までの契約ですが、本研究が順調に進捗しているため、その後の契約の取扱いについて同社と協議を進める予定です(2025年2月末現在)。

*受領済の契約一時金及びマイルストーンは受領時の為替レート、マイルストーン総額は150円/ドルで換算。

トップメッセージ

著しく低下。女性に多い疾患でもあります。患者数も多く、がんと同様にこの領域も大手製薬企業が注力している分野です。

sofnobrutinib(AS-0871)は、2023年にオランダで健康成人男女を対象としたフェーズ1試験を終了しています。その結果、安全性と忍容性、並びに良好な薬物動態プロファイルと薬力学作用が確認され、アレルギー疾患や自己免疫疾患患者を対象としたフェーズ2への移行が支持されました。冒頭のトピックスで述べたように、非臨床試験(胚・胎児発生毒性試験)結果において、胎児に異常が認められなかったことから、先行品と差別化できる重要なポイントとして注目しています。大きな潜在市場が存在するこの領域に向け、ライセンスアウトもしくは共同開発を目指した活動を進め、上市に向けた臨床試験が一層加速できるよう取り組んでまいります。

〈導出済みパイプライン〉

当社は、米国・ギリアド社と2019年6月に新規がん免疫療法の創薬プログラムに関するライセンス契約を締結。本プログラムから見出されたDGKα阻害剤(GS-9911)は2023年12月より固形がん患者を対象としたフェーズ1試験に進んでいます。開発状況や上市などの進捗に応じて受け取るマイルストーン収入の総額は最大で450百万ドルとなる予定で、これからの進展に期待しています。

Q3 創薬支援事業の進捗状況と今後の展開は？

キナーゼ創薬に特化した材料とサービスを強みに北米・中国での営業を強化

創薬支援事業では、キナーゼを標的にした創薬研究に必要な高品質なキナーゼタンパク質等の販売や、分析

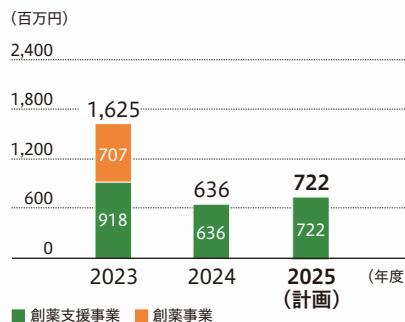
サービスを提供しています。プロファイリングサービスでは、これまで分析に使用していた測定機器が販売終了となったことから、顧客に継続的に精度の高い実験データを提供し続けるために代替機を検討。新たにSciex社のBioPhase 8800を導入し、新規のプロファイリングシステムを開発しました。2024年5月より同機器を活用した信頼性の高いキナーゼのアッセイサービスを開始し、高い評価を得ています。

核酸や中分子等の新しいモダリティによる創薬が盛んですが、キナーゼ等の低分子の創薬研究も米国のベンチャー企業を中心に積極的に進められています。こうした高い成長ポテンシャルを維持している米国、中国等の既存顧客のフォローを行うとともに、新規顧客の発掘・獲得を進めています。キナーゼ関連試薬とサービスで世界トップブランドの一つとしての存在感を高めていけるよう事業を推進してまいります。

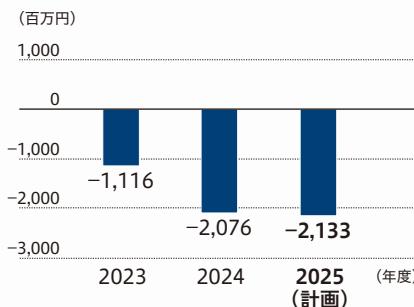
Q4 株主の皆様へのメッセージ

私たちは「創薬支援事業」と「創薬研究」の両輪を回しながら「創薬パイプラインの臨床開発を進め、クリニカル・ステージ・カンパニーとして企業価値を大きく向上させる」という基本戦略に則り、研究開発を続けています。成功確率3万分の1とも言われる新薬開発において、我々の目標はただひとつ。臨床開発を着実に進めてライセンスにつなげ、新薬の早期発売を目指すこと。順調にステージアップするパイプラインの結果を見極めながら戦略的に特許取得を行い、最適なタイミングで最善のパートナーに導出し、持続的な利益の創出を目指していきたいと考えています。株主の皆様には引き続きご支援くださいますよう、よろしくお願い申し上げます。

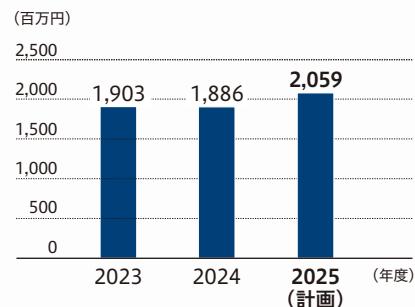
■ 連結売上高計画



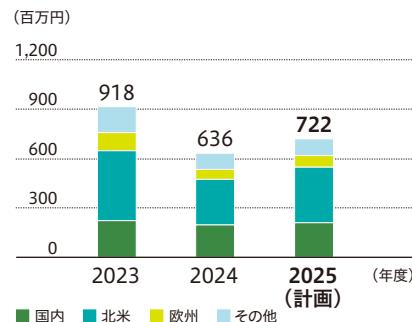
■ 連結営業損益計画



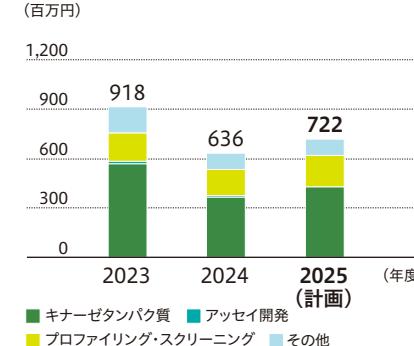
■ 研究開発費計画(全社)



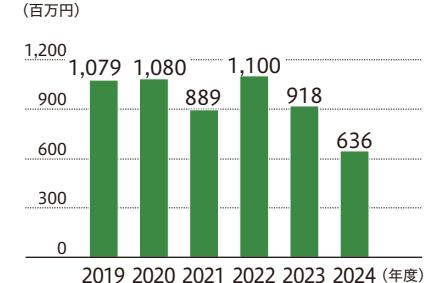
■ 創薬支援事業売上計画(地域別)



■ 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



注：創薬事業のマイルストーン、契約一時金による収入は、収入獲得時期や金額の予想が困難なため、2025年計画数値に織り込んでいません。

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。

創薬支援事業

創薬研究に不可欠な高品質なキナーゼタンパク質やアッセイキットをはじめ、低分子化合物のキナーゼに対する阻害作用を解析するプロファイリング・スクリーニングサービスなど、幅広い技術・製品・サービスの提供を通して国内外で顧客の創薬研究を支援しています。

キナーゼタンパク質販売とサービス提供による安定収入

—— 他社創薬ベンチャーにはない当社の強み ——



財務基盤の安定化
ツール提供

新規技術
創薬トレンド

創薬事業

がんや免疫・炎症疾患など、アンメット・メディカル・ニーズに応える画期的な新薬の創製に取り組んでいます。当社は、創薬標的探索から新薬の研究開発まで一貫した創薬研究が可能です。この技術力をベースに、継続的に革新的な医薬品を生み出し、飛躍的な成長を目指します。

自社での新薬研究開発

キナーゼ阻害薬等の創薬
[がん、免疫・炎症疾患などの治療薬]

—— 飛躍的な成長を目指した先行投資 ——

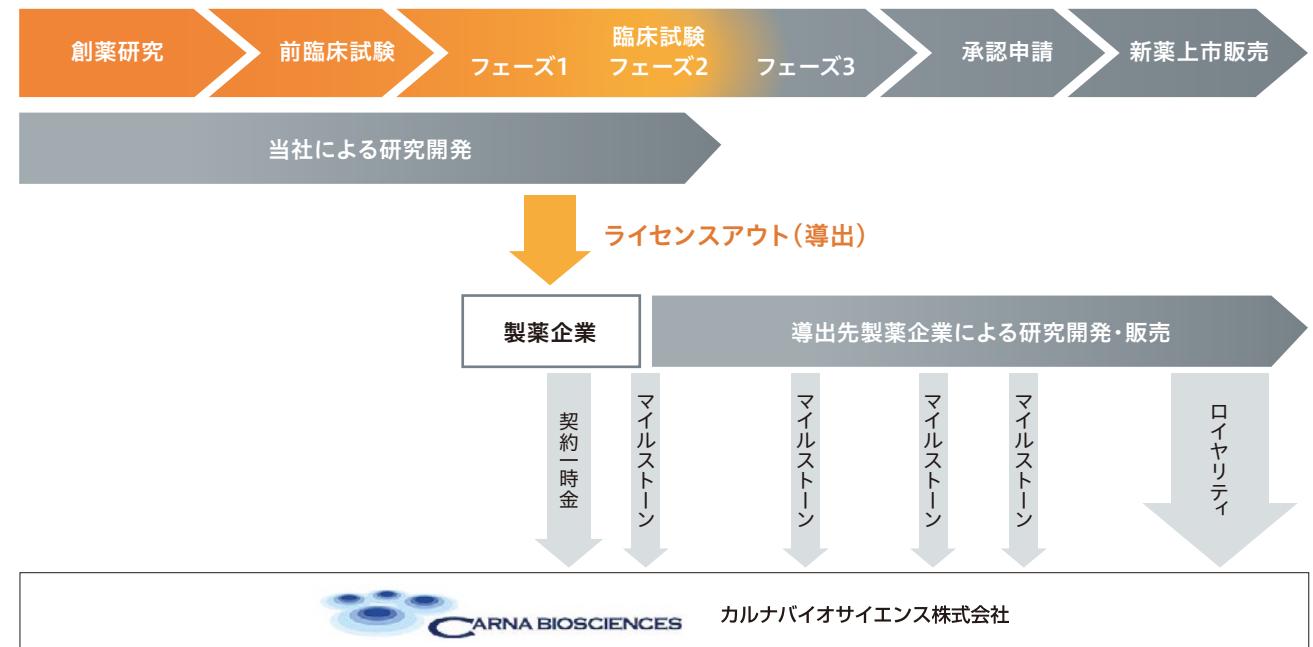


The robot arm is uniquely coordinated with SciEX instrument by Carna

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(導出)して収益を得るというものです。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2まで、その他の領域はフェーズ1または前臨床試験まで自社で開発。導出時に「契約一時金」を受領し、その後は各研究・開発段階での「マイルストーン収入」、新薬上市後は売上高に応じた「ロイヤリティ収入」を得ていくモデルです。臨床試験で有効性が確認できた医薬品候補化合物は導出時の価値が飛躍的に上がります。導出済みのプログラムから得るマイルストーン収入や今後新たな導出契約を締結する際の契約一時金に加え、株式市場から調達した資金を臨床試験の推進に先行投資し、大型の導出契約につなげていく計画です。



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 2023年12月31日現在	当連結会計年度 2024年12月31日現在
(資産の部)		
流動資産	4,191,484	2,737,717
固定資産	158,407	34,397
有形固定資産	105,498	0
無形固定資産	1,091	0
投資その他の資産	51,817	34,397
資産合計	4,349,891	2,772,115
(負債の部)		
流動負債	375,921	222,965
固定負債	96,435	73,794
負債合計	472,356	296,760
(純資産の部)		
株主資本	3,828,549	2,392,439
資本金	2,076,474	2,447,707
資本剰余金	5,827,683	6,198,916
利益剰余金	△4,075,386	△6,253,962
自己株式	△222	△222
その他の包括利益累計額	48,986	82,915
純資産合計	3,877,535	2,475,354
負債純資産合計	4,349,891	2,772,115

連結損益計算書

(単位:千円)

科目	前連結会計年度 2023年1月1日から 2023年12月31日まで	当連結会計年度 2024年1月1日から 2024年12月31日まで
売上高	1,625,889	636,235
売上総利益	1,450,595	465,692
営業損失(△)	△1,116,978	△2,076,104
経常損失(△)	△1,126,283	△2,080,739
税金等調整前当期純損失(△)	△1,130,846	△2,173,976
親会社株主に帰属する当期純損失(△)	△1,152,895	△2,178,576

連結キャッシュ・フロー計算書

(単位:千円)

科目	前連結会計年度 2023年1月1日から 2023年12月31日まで	当連結会計年度 2024年1月1日から 2024年12月31日まで
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,677,464	△1,374,806
投資活動によるキャッシュ・フロー	△11,376	△13,060
財務活動によるキャッシュ・フロー	1,182,027	567,441
現金及び現金同等物に係る換算差額	16,865	39,809
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△489,947	△780,616
現金及び現金同等物の期首残高	3,379,048	2,889,101
現金及び現金同等物の期末残高	2,889,101	2,108,484

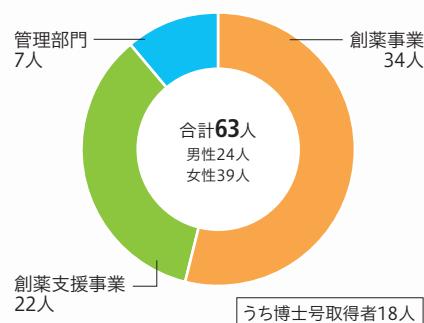
ESGへの取り組み

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。



従業員構成

(連結:2024年12月末時点)



株式の状況/株主メモ (2024年12月31日現在)

株式の状況

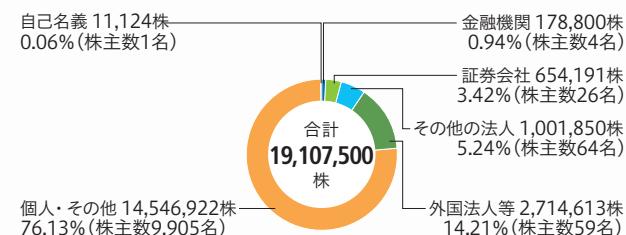
発行可能株式総数	30,000,000株
発行済株式の総数	19,107,500株
株主数	10,059名

大株主

株主名	持株数 (株)	持株比率 (%)
MSIP CLIENT SECURITIES	1,279,712	6.70
小野薬品工業株式会社	504,500	2.64
BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNYM GCM CLIENT ACCTS M ILM FE	468,704	2.45
上原 俊彦	405,700	2.12
堀田 和男	350,000	1.83
吉野 公一郎	333,900	1.74
鈴木 隆啓	300,000	1.57
STATE STREET BANK AND TRUST COMPANY 505019	214,500	1.12
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC)	201,211	1.05
小川 義水	200,000	1.04

株式・株主分布

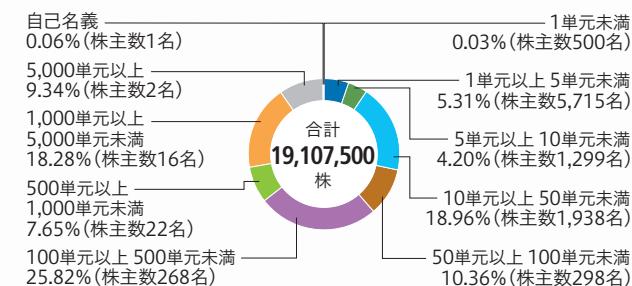
所有者別内訳



株主メモ

事業年度	毎年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	毎年12月31日
上場証券取引所	東京証券取引所グロース
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いたします。 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	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 受付時間9:00~17:00(土日休日を除く)
(インターネット/ ホームページURL)	https://www.smtb.jp/personal/procedure/agency/

所有株式数別内訳



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/2025.html>

見通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通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通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)

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

会社概要 (2024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	24億4,770万円
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	63名(連結ベース)
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	東京証券取引所グロース(証券コード4572)

海外子会社 (2024年12月31日現在)

商号	CarnaBio USA, Inc.
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	1,400千米ドル



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。