

カルナバイオサイエンス株式会社

株主通信

第23期報告書

2025年1月1日～2025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 |

アンメット・メディカル・ニーズの 高い「がん」「免疫・炎症疾患」 領域に画期的新薬を 届けるために臨床試験推進と パートナーリング活動を強化



Q1 2025年12月期のトピックスは？

がん領域の2つのパイプラインが進展 特許取得や医師主導試験など新たな展開が

当社は、キナーゼ阻害薬をはじめとする低分子医薬品に特化し、病に苦しむ全世界の患者様の治療に貢献する革新的医薬品の研究開発を進める創薬ベンチャーです。

現在、臨床ステージにある3つの化合物のうち、がん領域の docirbrutinib (AS-1763) と monzosertib (AS-0141) に進展がありました。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、ベネトクラクス等の BCL-2 阻害剤との併用投与によってがんの治療効果が増強されることが確認でき、日本特許庁による特許を取得しました。フェーズ1b 試験・用量拡大パートからも優れた抗腫瘍効果と先行する治療薬の薬物耐性に対する効果も期待でき、フェーズ2の早期開始を目指すべく試験を進めています。

もうひとつの monzosertib (AS-0141) は、固形がん、血液がんをターゲットに日本で臨床試験を進めていましたが、新たに米国・テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターで急性骨髄性白血病 (AML) 患者様を対象に、monzosertib (AS-0141) とアザシチジン、ベネトクラクス の3剤併用療法の評価を目的とした医師主導試験を実施

代表取締役社長
吉野 公一郎

することについて、同センターと覚書 (MOU) を締結しました。そのきっかけとなったのは、2025年4月の米国がん学会 (AACR) でのポスター発表でした。米国はもちろん世界で最も権威あるがん専門医療機関のひとつである米国・テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターの白血病科の Dr. Maiti の目にとまり、医師主導での臨床試験の申し入れを受けました。それだけ臨床現場で新薬が待ち望まれている領域なのだと同様に、2026年上半期に米国で IND 申請を行うことを目標に、プロジェクトをバックアップしていく予定です。

monzosertib (AS-0141) の新たな投与方法 (用法) および投与量 (用量) を見出したことを特徴とする血液がんを含むがんの治療方法に関する米国特許を取得しました。

また、免疫・炎症疾患領域の sofnobrutinib (AS-0871) については、慢性特発性蕁麻疹 (CSU) を重要な標的疾患と想定していますが、化合物のポテンシャルを鑑み、それに固執せず、希少疾患を含め複数企業と交渉を進めています。最良のパートナーへの導出・共同開発を目指しています。

Q2 創薬研究の進捗状況と今後の展開は？

臨床、非臨床の結果を欧州・米国の学会で発表 より多くのパートナーとの連携の機会を創出

創薬事業では、当社が創出したがん領域および免疫・炎症疾患領域の3つのキナーゼ阻害剤、導出品について新たな展開がありました。

〈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 (CLL/SLL: 慢性リンパ性白血病/小リンパ球性リンパ腫) 等の血液がんの治療薬として開発中の経口投与可能な次世代型 BTK 阻害剤です。オランダでの健康成人を対象としたフェーズ1 試験終了の結果をもとに、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複数の施設で患者様を対象としたフェーズ1b 試験を進めています。用量漸増パートの良好な結果を受け、2024年10月より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。用量拡大パートでは、慢性リンパ性白血病 (CLL)、小リンパ球性リンパ腫 (SLL)、B細胞性非ホジキンリンパ腫 (B-cell NHL) の患者様に投与。フェーズ1b 試験では優れた抗腫瘍効果を確認。先行薬の薬剤耐性となった B細胞性悪性腫瘍に対する有効性や重篤な副作用が少なく、多くの患者様において投与が継続されている点に、優位性があると考えています。

並行して進めている非臨床研究では、既存 BTK 阻害薬で課題となっている、薬剤耐性変異型 BTK を導入した DLBCL 細胞株に対しても有効であることやベネトクラクス等の BCL-2 阻害剤との併用で、より効果的に細胞死が誘導されることを確認。併用投与について日本特許庁による特許を取得しました。

こうしたフェーズ1b 試験のデータを、2025年6月ヨーロッパ血液学会 (EHA) で初期結果を、続いて12月にアメリカ血液学会 (ASH) で途中結果および新たな非臨床研究について発表し、注目を集めました。

トップメッセージ

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120億ドルを超えており、2025年以降も拡大が予測されています。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。docirbrutinib(AS-1763)はブロックバスター(年間売上1,000億円以上の医薬品)となるポテンシャルを十分に有していると考えています。大型のライセンス契約につなげるためにもフェーズ1b試験を着実に進め、フェーズ2試験の早期開始を目指していきたいと考えています。

■ CDC7 阻害剤 monzosertib(AS-0141)

monzosertib(AS-0141)は、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、固形がんおよび血液がん領域で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。これまで日本で臨床試験を進めていましたが、2025年12月、新たに米国・テキサス大学MDアンダーソンがんセンターで急性骨髄性白血病(AML)患者を対象に、医師主導治験を実施することについて、同センターと覚書(MOU)を締結しました。

日本では、固形がんを対象に、フェーズ1試験を国立がん研究センター等で実施、最後の患者の治験が終了しました。現在、データ解析を進めています。また、同剤は

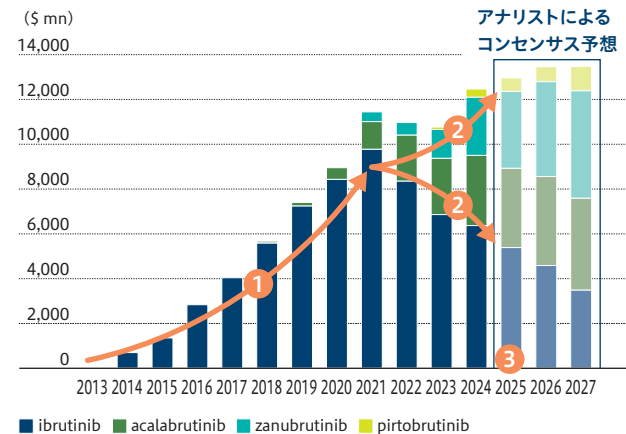
非臨床試験の結果から固形がんだけでなく、血液がんに対しても高い抗腫瘍効果が確認されていたことから、プロトコルを変更して血液がん患者を対象とした治験を行い、高い安全性・忍容性が確認されました。これらの成果を受け、日本、オーストラリアに次いで、2025年9月にアメリカでの特許査定(2026年1月に特許登録)を取得しました。

また、非臨床研究において、急性骨髄性白血病(AML)の標準治療薬であるアザシチジン、ペネトクラクスの2剤併用療法にmonzosertib(AS-0141)を追加した3剤併用により優れた抗腫瘍効果が得られることが確認され、この成果を2025年4月の米国がん学会(AACR)の年次総会で発表。この発表に興味を示し、結果を高く評価して

くれた米国・テキサス大学MDアンダーソンがんセンター白血科Dr. Maitiより、医師主導で臨床試験を行いたいと申し入れを受けました。同センターでは、約500名のAML患者様が治療を受けており、薬物耐性は大きな課題のひとつ。その臨床の最前線で治療にあたる医師が、医師主導治験を申し出てくださったことは、新薬の登場を強く望んでいる証拠だと感じています。こうした医師主導試験は高い優先順位で進められること、同センターには患者様が集積していること、そして検査設備も充実していることなどから、スピード感ある治験も期待できます。現在、FDA申請準備を進めており、今後、当社は治験薬の供給や試験サポートを行うなど、本プロジェクトを強力に推進していく予定です。

競合ブロックバスターの合計売上規模は120億ドル超であり、2025年以降も拡大を予測 これらの既存薬に対する副作用や薬剤耐性の問題から、アンメットメディカルニーズがまだ大きい

■ docirbrutinib 競合ブロックバスター売上推移



* Source: Clarivate

1 2013年にibrutinib(商品名Imbruvica)が承認され、2021年まで継続して成長し市場を牽引

2 一方、ibrutinibは副作用が強く出る薬であり、副作用が軽減されたacalabrutinib、zanubrutinib、pirtobrutinibが現在市場シェアを拡大

3 しかし、現在ではibrutinib、acalabrutinib、zanubrutinib、pirtobrutinibが効かなくなる変異型BTKの出現により、薬剤耐性が生じており、新たな医薬品が求められている



BTK阻害薬とは
B細胞(白血球の一種)の動きを助ける酵素であるBTK(ブルトン型チロシンキナーゼ)の動きを阻害することによって、がん細胞の増殖を防ぎ、がんの治療を目指す薬品

■ 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 | <p>フェーズ1b試験(米国)を実施中</p> <p>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 白血科教授 Nitin Jain 医師</p> <ul style="list-style-type: none"> 前倒しで、用量拡大パートの投与を開始(2024年10月)、実施中 用量漸増パート 患者登録を完了(2024年12月) アメリカ血液学会(ASH2025)において有望な途中結果を発表(12月) |
| sofnobrutinib (AS-0871) | BTK | 免疫・炎症疾患 | <ul style="list-style-type: none"> 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 パートナリング活動を実施中 |
| monzosertib (AS-0141) | CDC7/ASK | 固形がん 血液がん | <p>フェーズ1試験(がん患者対象、日本)</p> <ul style="list-style-type: none"> 固形がん 用量漸増パートを完了、用量拡大パートの最後の患者の治験が終了 血液がん 用量漸増パートの最後の患者の治験が終了 <p>フェーズ1b試験(医師主導治験、米国)を準備中</p> <ul style="list-style-type: none"> 血液がん・3剤併用試験 <p>米国テキサス大学MDアンダーソンがんセンター、白血科のDr. Abhishek Maitiを責任医師とする医師主導治験(IIT)</p> |

〈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薬として、まずは慢性特発性蕁麻疹(CSU)を重要な標的疾患と想定して開発を進めています。2023年にオランダでフェーズ1試験を終え、安全性、忍容性等が確認され、フェーズ2への移行が支持されました。加えて、2024年に行った非臨床試験(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は、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。

免疫・炎症疾患領域は、大きな潜在市場。パートナーング活動を進めるなかで、当社が当初想定していなかった疾患への応用も見えてきました。同剤のポテンシャルを踏まえ、どの疾患をターゲットにどの企業に導出するのが良いかを考えながら交渉を進めています。

〈導出済みパイプラインについて〉

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したが、2025年8月発表の同社決算資料のパイプラインテーブルから除外となりました。現時点でライセンス契約は続いているため、新たな情報が判明した場合、お知らせいたします。

また、住友ファーマ株式会社との創薬プログラムの共同研究は2027年3月まで契約延長となりました。

Q₃

創薬支援事業の進捗状況と今後の展開は？

創薬トレンドを見極めながら
製品・サービスの広報強化で顧客獲得を図る

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。

AIの登場によって創薬の手法は大きく変化しています。AIがスクリーニング加速装置であるとするれば、ウェット(実際に行う実験)は、真偽を判定するための必須事項。さらに、AIモデルの精度向上のためには、ウェットとのデータ照合やトレーニングが不可欠。正確なAIモデル構築のためにも当社の高品質なキナーゼが求められています。しかし、米国市場では、ファイナンス低迷の影響を受け、バイオテック企業が研究(基礎研究・非臨床)から臨床開発に注力をシフトしたため、受注が減少。国内市場も、大口顧客である製薬企業の研究方針や進捗状況の影響等により受注が低迷しました。中国市場は、創薬活動が加速したため、売上は計画通りとなりました。

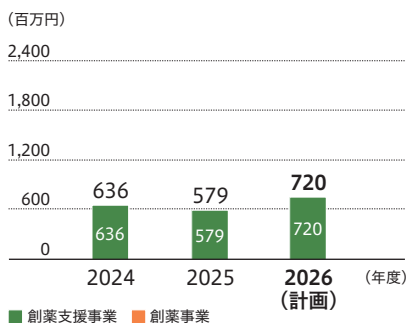
今後の創薬トレンドを見極めながら、新規顧客の発掘、獲得に注力するとともにWebサイトやデジタルプラットフォームを活用した情報発信を強化していきます。

Q₄

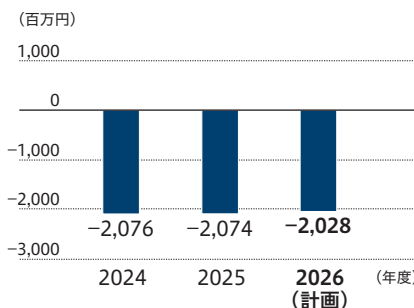
株主の皆様へのメッセージ

創薬ベンチャーというビジネスモデルは、売上が立つ前に、研究開発費という巨額の投資が必要な先行投資型。しかし、創薬を通じて新たな価値を生み出す、大きな夢のあるビジネスではないでしょうか。わずかな化合物しか成功に至らない新薬開発において、我々は3つの化合物を治験フェーズに上げ、着実にステージアップしています。国立がん研究センターや米国・テキサス大学MDアンダーソンがんセンターの力をお借りしながら臨床試験を進め、米国、欧州の腫瘍学科、血液学会等でその臨床結果と非臨床の成果を発表。アンメット・メディカル・ニーズに応えるべく、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事業を推進しています。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。

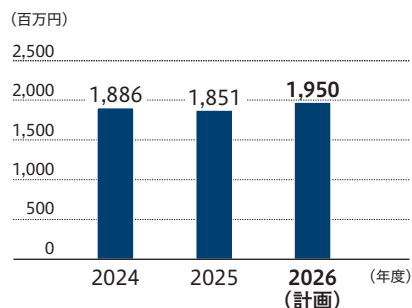
■ 連結売上高計画



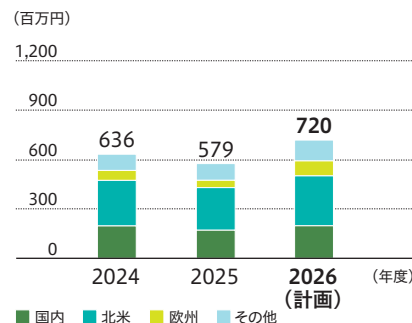
■ 連結営業損益計画



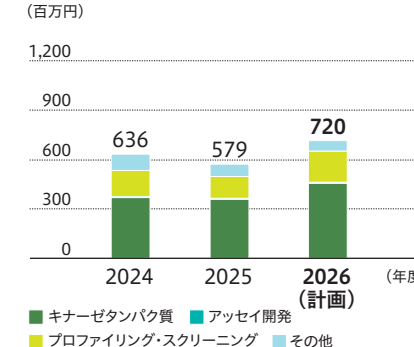
■ 研究開発費計画(全社)



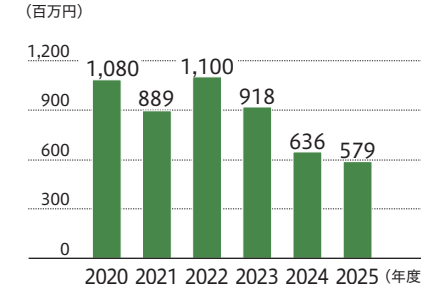
■ 創薬支援事業売上計画(地域別)



■ 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、2026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 ———





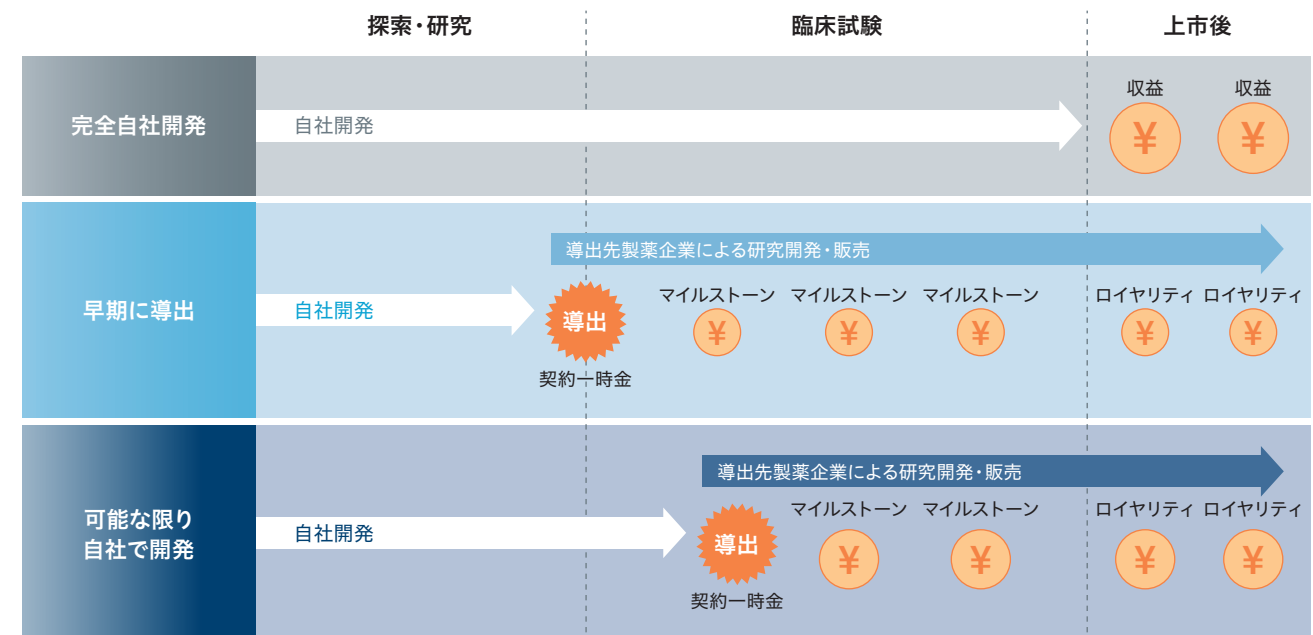


The robot arm is uniquely coordinated with ScieX instrument by Carna

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 2024年12月31日現在 | 当連結会計年度 2025年12月31日現在 |
|----------------|--------------------------|--------------------------|
| (資産の部) | | |
| 流動資産 | 2,737,717 | 1,175,527 |
| 固定資産 | 34,397 | 54,121 |
| 有形固定資産 | 0 | 0 |
| 無形固定資産 | 0 | 0 |
| 投資その他の資産 | 34,397 | 54,121 |
| 資産合計 | 2,772,115 | 1,229,648 |
| (負債の部) | | |
| 流動負債 | 222,965 | 168,070 |
| 固定負債 | 73,794 | 752,360 |
| 負債合計 | 296,760 | 920,430 |
| (純資産の部) | | |
| 株主資本 | 2,392,439 | 230,655 |
| 資本金 | 2,447,707 | 14,846 |
| 資本剰余金 | 6,198,916 | 2,196,625 |
| 利益剰余金 | △6,253,962 | △1,980,588 |
| 自己株式 | △222 | △227 |
| その他の包括利益累計額 | 82,915 | 78,562 |
| 純資産合計 | 2,475,354 | 309,217 |
| 負債純資産合計 | 2,772,115 | 1,229,648 |

連結損益計算書

(単位:千円)

| 科目 | 前連結会計年度 2024年1月1日から 2024年12月31日まで | 当連結会計年度 2025年1月1日から 2025年12月31日まで |
|--------------------|---|---|
| 売上高 | 636,235 | 579,057 |
| 売上総利益 | 465,692 | 388,148 |
| 営業損失(△) | △2,076,104 | △2,074,972 |
| 経常損失(△) | △2,080,739 | △2,144,861 |
| 税金等調整前当期純損失(△) | △2,173,976 | △2,169,619 |
| 親会社株主に帰属する当期純損失(△) | △2,178,576 | △2,171,470 |

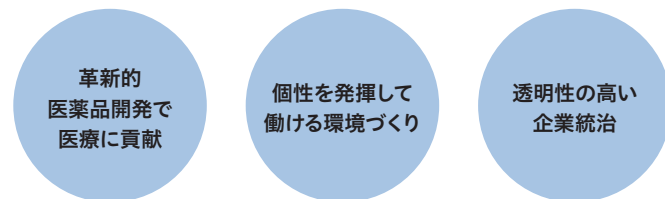
連結キャッシュ・フロー計算書

(単位:千円)

| 科目 | 前連結会計年度 2024年1月1日から 2024年12月31日まで | 当連結会計年度 2025年1月1日から 2025年12月31日まで |
|---------------------|---|---|
| 営業活動によるキャッシュ・フロー | △1,374,806 | △2,159,363 |
| 投資活動によるキャッシュ・フロー | △13,060 | △25,009 |
| 財務活動によるキャッシュ・フロー | 567,441 | 604,711 |
| 現金及び現金同等物に係る換算差額 | 39,809 | △12,034 |
| 現金及び現金同等物の増減額(△は減少) | △780,616 | △1,591,695 |
| 現金及び現金同等物の期首残高 | 2,889,101 | 2,108,484 |
| 現金及び現金同等物の期末残高 | 2,108,484 | 516,789 |

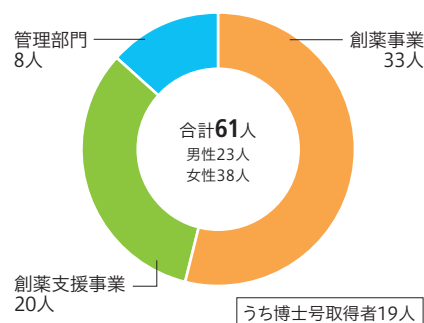
ESGへの取り組み

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:2025年12月末時点)



株式の状況/株主メモ (2025年12月31日現在)

株式の状況

| | |
|----------|-------------|
| 発行済株式の総数 | 19,150,500株 |
| 株主数 | 10,200名 |

大株主

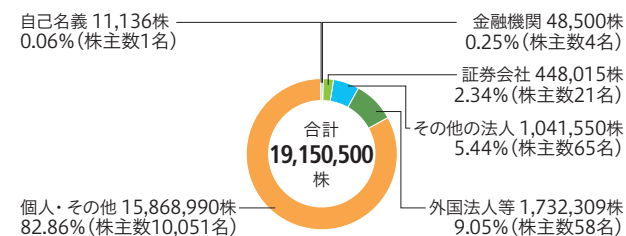
| 株主名 | 持株数 (株) | 持株比率 (%) |
|---|------------|-------------|
| MSIP CLIENT SECURITIES | 955,612 | 4.99 |
| 川村 剛 | 555,500 | 2.90 |
| 小野薬品工業株式会社 | 504,500 | 2.63 |
| 上原 俊彦 | 500,000 | 2.61 |
| 堀田 和男 | 468,800 | 2.44 |
| 吉野 公一郎 | 333,900 | 1.74 |
| 小川 義水 | 255,000 | 1.33 |
| BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC) | 195,241 | 1.01 |
| BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNYM GCM CLIENT ACCTS M ILM FE | 180,304 | 0.94 |
| 鈴木 隆啓 | 149,000 | 0.77 |

株主メモ

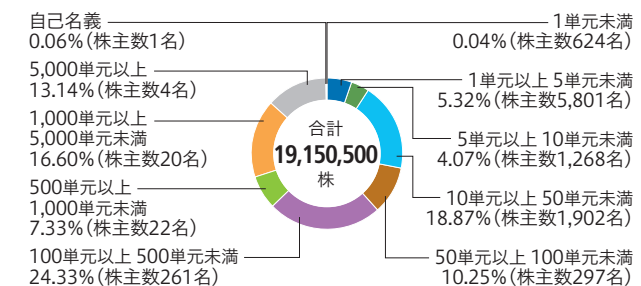
| | |
|-----------------------|--|
| 事業年度 | 毎年1月1日から12月31日まで |
| 定時株主総会 | 3月開催 |
| 基準日 | 毎年12月31日 |
| 上場証券取引所 | 東京証券取引所グロース |
| 証券コード | 4572 |
| 株式の売買単位 | 100株 |
| 公告方法 | 電子公告により、当社ホームページに掲載いたします。 https://www.carnabio.com/japanese/ir/notification.html ただし、事故その他やむを得ない事由によって電子公告をすることができない場合は、日本経済新聞に掲載します。 |
| 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・祝日および12/31~1/3を除く) |
| (インターネット/ホームページURL) | https://www.smtb.jp/personal/procedure/agency |

株式・株主分布

所有者別内訳



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/2026.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 (2025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 | 1,484万6千円 |
| 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(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 (2025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。