

カルナバイオサイエンス株式会社

株主通信

第21期報告書

2023年1月1日～2023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

米国での臨床試験や導出先での着実な進展により 画期的新薬創出に至る道筋をより明確なものへ



代表取締役社長
吉野 公一郎

Q₁ 2023年12月期のトピックスは？

米国での臨床試験開始など 主要なパイプラインが順調に推移

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・炎症疾患などに苦しむ世界中の人々に画期的な新薬を届けることを目指し、研究開発活動に継続して力を入れてきました。設立から20年となる2023年は、大きな進捗があり、まさに記念すべき年となりました。

なかでもギリアド社と当社の協力により創出された開発中のDGK α 阻害剤GS-9911について、導出先のギリアド社でいよいよ臨床試験が始まったことは、2023年最大のトピックスの1つであると言えます。固形がん患者様を対象にしたフェーズ1試験は、2023年後半に開始され、それに伴い、当社はマイルストーン・ペイメント500万ドルを受領しました。DGK α はT細胞の抗腫瘍免疫の調節に重要な役割を持っていることから新たな創薬標的として注目されており、DGK α を阻害する薬剤は次世代のがん免疫療法の開発が期待されています。GS-9911は、選択的かつ高活性なDGK α 阻害剤で、新しい

治療法を必要としているがん患者様の大きな希望になると信じています。

また、自社のパイプラインでも、BTK阻害剤AS-1763のフェーズ1b試験がいよいよ米国で開始される運びとなり、実際に2023年8月から米国の患者様に投与されています。自社の研究所でつくられた薬を、自ら米国で臨床試験を行うということは、設立時から当社が目標としてきたことの1つでした。それがいよいよ実現したことになり、進展を実感しています。

さらに、免疫炎症性疾患をターゲットにしたBTK阻害剤sofnobrutinib (AS-0871)も、オランダでのフェーズ1試験で、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が確認され、フェーズ2への移行が支持されました。これらのことから、当社の主要なパイプラインがすべて順調に進んでおり、確かな手応えを感じられた1年となりました。

Q₂ 創薬研究の進捗状況は？

がん領域、免疫・炎症疾患領域とも 次段階に向けて着実に進展

創薬事業では、先述の通りギリアド社に導出したGS-9911に加え、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においても著しい進展がありました。

がん領域

■BTK阻害剤AS-1763について

AS-1763は、慢性リンパ性白血病などの血液がんをターゲットに開発中の次世代型BTK阻害剤です。2021年に健康な成人男女を対象としたフェーズ1試験単回投与用量漸増パートをオランダで実施し、すべての用量で安全性、忍容性、良好な薬物動態および薬力学プロファイルを確認しました。この結果を踏まえ、米国におけるフェーズ1b試験を計画し、2022年に米国FDAから臨床試験開始の承認を得ることができました。臨床試験実施施設の選定、契約などの準備を進め、テキサス大学MDアンダーソンがんセンターを含む4施設で患者様をエントリーする準備が整い、2023年8月から患者様への投与を開始しています。

2023年12月にはアメリカ血液学会年次総会でフェーズ1b試験デザインおよび非臨床研究成果に関するポスター発表を行いました。発表はテキサス大学MDアンダーソンがんセンターの治験責任医師及び基礎研究専門の医師がそれぞれ行い、当該領域における高名な臨床医や研究者にもご高覧いただき、大きな反響がありました。AS-1763への関心を高められたこともあり、適切な臨床試験実施施設との契約を順調に進める一助になりました。2024年2月時点では8施設で患者様をエントリーすることが可能な状況で、先生方のモチベーションも高く、順調に臨床試験を遂行することができています。

トップメッセージ

■CDC7阻害剤 monzosertib (AS-0141)について

monzosertibは、CDC7を選択的かつ強力に阻害し、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を示しており、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、さまざまな固形がんを対象に開発を進めています。現在、国立がん研究センターの中央病院と東病院においてフェーズ1試験を実施しており、用量漸増パートの最終段階に入っています。2024年には推奨用量を決定し、より多くの患者様で安全性および有効性を評価する拡大パートへと移行する予定です。

さらに、monzosertibは基礎研究の結果から固形がんだけでなく、血液がんにも有効である可能性がわかってきました。そこで、より成功確度を高めるため、血液がんの患者様にも治験に参加いただけるよう準備を進めています。

免疫・炎症疾患領域

■BTK阻害剤 sofnobrutinib (AS-0871)について

免疫・炎症疾患領域を対象にしたsofnobrutinibは、2020年からオランダでフェーズ1臨床試験を実施し、2023年に完了しています。簡易製剤を用いた単回投与用量漸増(SAD)試験を終え、2021年12月からは反復投与用量漸増(MAD)試験を開始しました。MAD試験は、新製剤を用いた相対的バイオアベイラビリティを評価するBAパート、反復投与時の安全性、忍容性、血中濃度、薬力学的作用を評価するMADパートで構成されています。

BAパートについては、新たに開発したタブレット型製剤を用いた試験を実施し、2023年1月に完了しました。

その結果を受け、2023年1月から4月の期間で次段階となるMADパートの投与を行い、11月にMAD試験の臨床試験報告書が最終化されました。これまで実施したフェーズ1試験の結果からsofnobrutinibの安全性、忍容性、なら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たことで、フェーズ2への移行が支持されました。

sofnobrutinibは、非がん疾患を対象としたBTK阻害剤であることから、その安全性が非常に重要になります。MAD試験において、十分な薬効が期待できる用量で2週間の反復投与での安全性が確認できたことは大きな前進と言えます。現在、sofnobrutinibのさらなる開発を進めるべく、パートナーリング活動を積極的に進めています。

Q₃

創薬支援事業の進捗状況は？

次世代アッセイ機器による プロファイリングシステム開発に成功

2023年は、創薬支援事業でも大きな進展がありました。これまで当社提供プロファイリングサービスでは、マイクロ流体環境キャピラリー電気泳動システムによるキナーゼプロファイリングをPerkinElmer社のEZ Reader IIを測定機器として実施・提供してきました。同機器が販売終了となったことから、さまざまな代替技術を用いて新たな実験システム開発を試みてきましたが、次世代アッセイ機器によるプロファイリングシステム開発に成

■臨床開発中のパイプライン

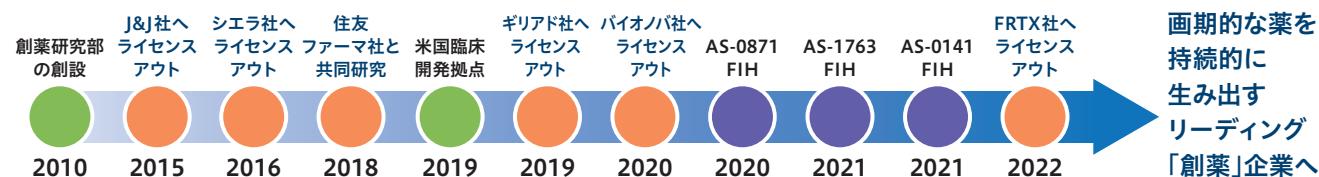
化合物	標的	対象疾患	概況
AS-1763	BTK	血液がん	<ul style="list-style-type: none"> 健康成人を対象としたフェーズ1試験 SADパート及びBAパートを完了(オランダ) フェーズ1b試験(米国)2023年8月に最初の患者様に投与開始 <div style="border: 1px solid black; padding: 5px;"> 多施設共同試験 主導: テキサス大学MDアンダーソンがんセンター 白血病科 准教授 Nitin Jain医師 </div>
sofnobrutinib (AS-0871)	BTK	免疫・炎症疾患	フェーズ1試験(健康成人対象、オランダ) <ul style="list-style-type: none"> SAD試験及びMAD試験BAパートを完了 MAD試験の報告書を最終化(11月) 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
monzosertib (AS-0141)	CDC7/ASK	がん	フェーズ1試験(がん患者対象、日本) <ul style="list-style-type: none"> 用量漸増パートを実施中 <div style="border: 1px solid black; padding: 5px;"> 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 </div>

■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630億円)	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	

*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140円/ドルで換算。

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



※FIH: ヒトへの初めての投与

トップメッセージ

功しました。これによって当社サービスをご利用いただいているお客様に継続的な実験データを提供し続けることが可能になりました。今後も引き続きさらなる測定条件の最適化による効率化やデータ解析の自動化などに取り組んでいきたいと考えています。

また、創薬研究に必要な不可欠な当社ならではの高品質なキナーゼタンパク質の販売については、2022年に米国・中国で大きく伸長、2023年にはヨーロッパでの販売が拡大し、多様な販売ルート確保につながりました。今後も創薬研究に欠かせない高品質な商品・サービスをグローバル企業に提供することによって新薬開発に貢献していきます。

Q₄

今後の成長戦略は？

AS-1763の価値最大化が最重要テーマ
知的財産戦略も着実に遂行

最重要テーマは、自社のパイプラインの中で一番大型化しそうなAS-1763の臨床試験の着実な遂行です。競合品との違いを、差別化データとして明確に示すことに力を入れていきます。そうしたデータを学会等で発信することで、注目度が上がり、最適なパートナーングにもつながっていくと考えています。

競合の激しい米国で臨床試験を実施するのは多くの苦労がありましたが、臨床ステージに入ってから“患者様待ち”のようなタイムラグもなく、最速とも言えるスピードで患者エントリーが進められているのは、戦略的にフレームワークをしっかりとつくってきたからであると認識しています。臨床試験のノウハウを有する人材確保をはじめ、

テキサス大学MDアンダーソンがんセンターとの協働体制の確立、グローバル治験で豊富な実績を誇るCRO(医薬品開発業務受託機関)の協力など、地道に活動を続けてきた結果、ベストな体勢を構築することができています。

また、知的財産戦略上において重要となる特許を2023年には2件取得しました。1つはGS-9911に関連して、導出先であるギリアド社と共同出願し、7月に米国特許商標庁から特許査定を受けました。もう1つはAS-1763で、12月に欧州特許庁から特許査定を受けました。今後も知的財産戦略において重要な特許取得に引き続き積極的に取り組んでいきます。

要な年となると見込んでいます。導出先であるギリアド社もGS-9911の開発をトッププライオリティとして取り組んでくれています。2023年は2021年12月に続き2回目のマイルストーン・ペイメントを受領しましたが、開発状況や上市などの進捗に応じて受け取ることになるマイルストーン・ペイメントの総額は最大で450百万ドルとなっています。

また、最も成長性に期待しているAS-1763が大型導出につながられるよう、万全の体制構築に力を注いでいきます。

収穫期に向けた道筋はもう見えてきています。ここまで来たからには、大きな花が咲くよう、しっかりと歩を進めていくことが肝要であると、一層気を引き締めて取り組んでいきます。株主の皆様には引き続きご支援くださいますよう、どうぞよろしくお願い申し上げます。

Q₅

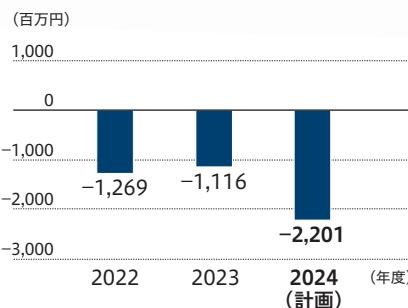
株主の皆様へのメッセージ

2024年は、当社パイプラインの実力が少しずつ明らかになり、当社の今後の成長性が見えてくるきわめて重

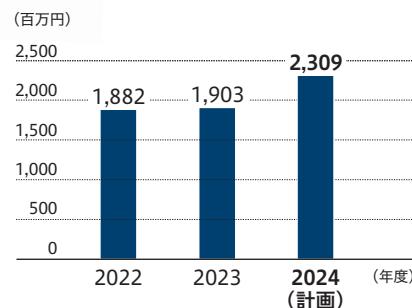
■ 連結売上高計画



■ 連結営業損益計画



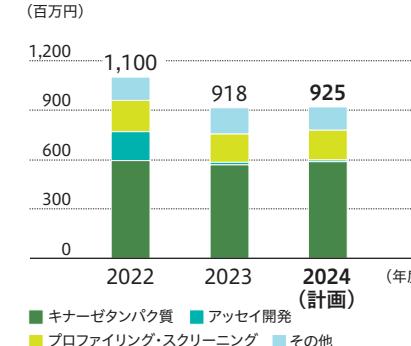
■ 研究開発費計画(全社)



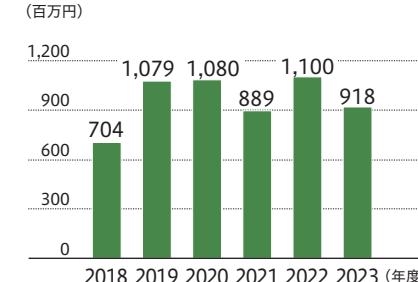
■ 創業支援事業売上計画(地域別)



■ 創業支援事業売上計画(製品別)



■ 創業支援事業長期売上高推移



注：創業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、2024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



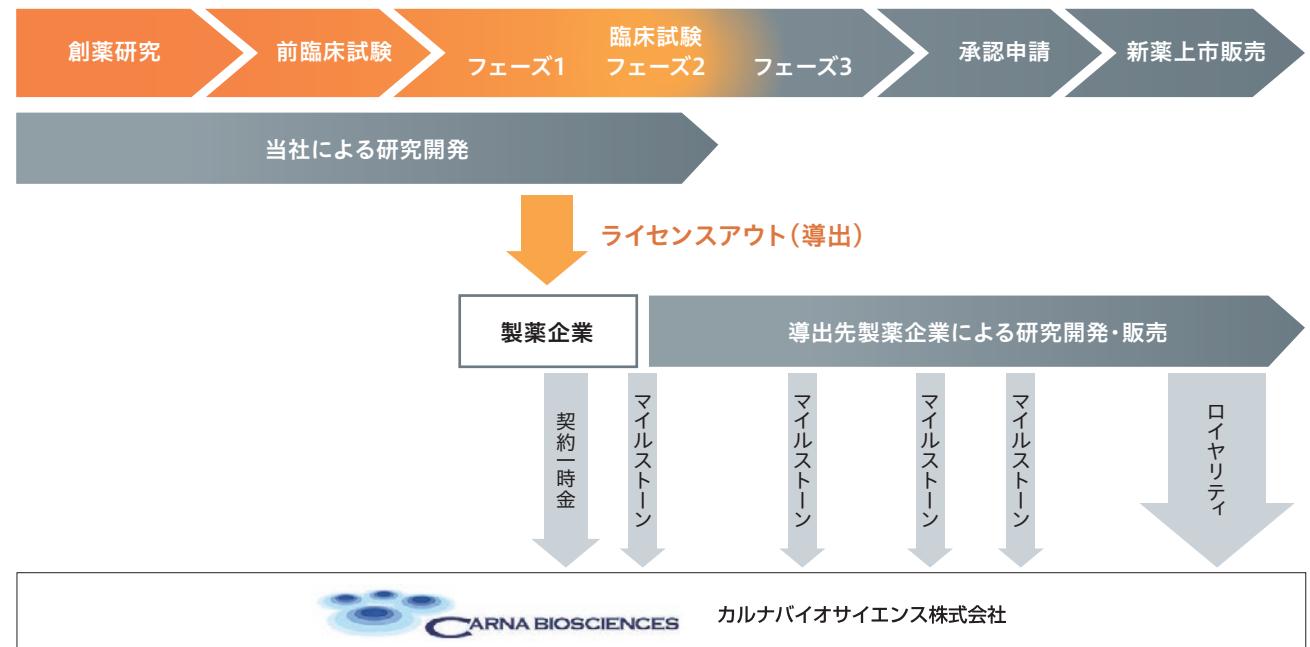


創薬事業の収益モデル

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 2022年12月31日現在	当連結会計年度 2023年12月31日現在
(資産の部)		
流動資産	4,104,316	4,191,484
固定資産	162,137	158,407
有形固定資産	100,231	105,498
無形固定資産	1,915	1,091
投資その他の資産	59,990	51,817
資産合計	4,266,453	4,349,891
(負債の部)		
流動負債	436,407	375,921
固定負債	188,201	96,435
負債合計	624,609	472,356
(純資産の部)		
株主資本	3,592,988	3,828,549
資本金	1,382,246	2,076,474
資本剰余金	5,133,456	5,827,683
利益剰余金	△2,922,490	△4,075,386
自己株式	△222	△222
その他の包括利益累計額	31,467	48,986
純資産合計	3,641,844	3,877,535
負債純資産合計	4,266,453	4,349,891

連結損益計算書

(単位:千円)

科目	前連結会計年度 2022年1月1日から 2022年12月31日まで	当連結会計年度 2023年1月1日から 2023年12月31日まで
売上高	1,386,748	1,625,889
売上総利益	1,215,197	1,450,595
営業損失(△)	△1,269,888	△1,116,978
経常損失(△)	△1,278,820	△1,126,283
税金等調整前当期純損失(△)	△1,323,399	△1,130,846
親会社株主に帰属する当期純損失(△)	△1,349,539	△1,152,895

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 2022年1月1日から 2022年12月31日まで	当連結会計年度 2023年1月1日から 2023年12月31日まで
営業活動によるキャッシュ・フロー	△708,390	△1,677,464
投資活動によるキャッシュ・フロー	△125,696	△11,376
財務活動によるキャッシュ・フロー	367,006	1,182,027
現金及び現金同等物に係る換算差額	28,293	16,865
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△438,786	△489,947
現金及び現金同等物の期首残高	3,817,834	3,379,048
現金及び現金同等物の期末残高	3,379,048	2,889,101

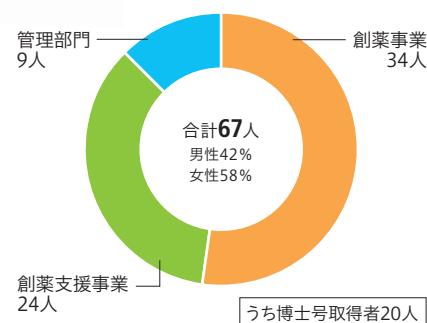
ESGへの取り組み

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:2023年12月31日現在)



株式の状況/株主メモ (2023年12月31日現在)

株式の状況

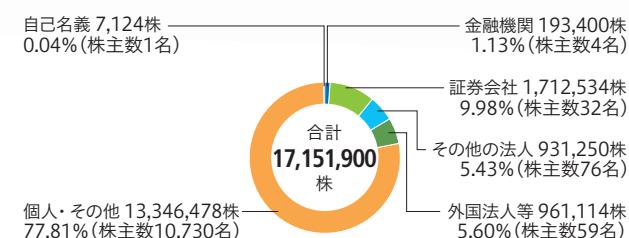
発行可能株式総数	30,000,000株
発行済株式の総数	17,151,900株
株主数	10,902名

大株主

株主名	持株数 (株)	持株比率 (%)
楽天証券株式会社	514,100	2.99
小野薬品工業株式会社	504,500	2.94
上原 俊彦	367,800	2.14
野村證券株式会社 (常任代理人 株式会社三井住友銀行)	365,121	2.12
吉野 公一郎	333,900	1.94
堀田 和男	303,300	1.76
J.P. MORGAN SECURITIES PLC FOR AND ON BEHALF OF ITS CLIENTS JPMSP RE CLIENT ASSETS-SETT ACCT (常任代理人 シティバンク、エヌ・エイ 東京支店)	287,330	1.67
STATE STREET BANK AND TRUST COMPANY 505019 (常任代理人 香港上海銀行東京支店 カストディ業務部)	281,900	1.64
鈴木 隆啓	240,000	1.39
野村證券株式会社	201,020	1.17

株式・株主分布

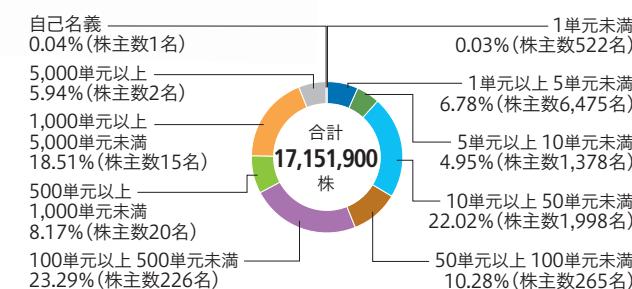
所有者別内訳



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	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/agency/index.html

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/2024.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 (2023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	20億7,647万円
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	67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 (2023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。