



カルナバイオサイエンス株式会社

株主通信

第20期報告書

2022年1月1日～2022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

臨床ステージにある3つのパイプラインを着実に育て 画期的新薬創出という目標に挑む飛躍の年に



代表取締役社長
吉野 公一郎

Q₁ 創薬ベンチャーとしての特長・強みは？

キナーゼに関する創薬基盤技術を武器に、
自ら新規医薬品候補化合物を生み出す創薬力

当社は、がんと免疫・炎症疾患を重点領域とし、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る創薬ベンチャーです。事業の根幹にあるのは、キナーゼ創薬基盤技術です。高品質なキナーゼ関連製品・サービスを国内外の顧客に販売する「創薬支援事業」で収益を上げ、その資金をもとにキナーゼ阻害薬等の低分子医薬品にフォーカスした研究開発を行う「創薬事業」を推進。ポテンシャルの高い医薬品候補化合物



を創製してステージアップを図り、グローバル製薬企業に導出して企業価値を最大化するというのが、当社のビジネスモデルです。この二つの事業を有機的に回すことで飛躍的な成長を目指しています。

ギリアド社をはじめ、高いサイエンスレベルを追求する企業への導出を果たす等、世界で戦える力を蓄えてきました。2022年度も新規導出を果たすなど成長を続けています。

Q₂ 2022年12月期のトピックスは？

自社開発の3つのパイプラインの臨床試験を推進

創薬事業

がん領域をターゲットとした2つのキナーゼ阻害剤のうちBTK阻害剤AS-1763は米国でのフェーズ1b試験開始について2022年5月にIND（新薬臨床試験開始届）申請が承認されました。もうひとつのCDC7阻害剤AS-0141は、さまざまな固形がんを対象とした治療薬として国内での開発を進めています。現在、フェーズ1の試験中で安全性などの評価やフェーズ2以降の推奨用量の決定などをしていきます。

免疫・炎症疾患領域をターゲットとしたBTK阻害剤AS-0871は、オランダでフェーズI試験の反復投与用量漸増（MAD）試験を進めています。

また、2019年に米国・ギリアド社に導出したパイプラインも臨床試験開始に向けて準備が進んでいます。このほか、非キナーゼ標的プロジェクトから創製されたSTING

アンタゴニストを米国フレッシュ・トラックス・セラピューティクス社に導出するなど、新たな展開もありました。

創薬支援事業

創薬支援事業においては、米国・中国でキナーゼタンパク質の販売が拡大し、過去最高の売上高を達成しました。創薬研究に欠かせない高品質な製品・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ます。

Q₃ 創薬研究の進捗状況は？

がん領域、免疫・炎症疾患領域ともに、
開発品が着実に進展

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。米国で患者さんを対象としたフェーズ1b試験を実施する準備をしており、2022年5月にFDA※にINDを申請し承認を得ました。同じ疾患を対象とした先発薬である共有結合型BTK阻害剤「イブルチニブ」は、すでに売上高1兆円超のブロックバスター。しかし、薬剤耐性が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薬の開発が強く求められています。AS-1763は、イブルチニブを代表とする共有結合型BTK阻害剤の薬剤耐性の原因と考えられている変異型BTKに高い阻害効果を示すこと

トップメッセージ

が非臨床試験で確認されている期待の化合物。ブロックバスターを目指し、試験を進めていきます。

当社は2020年3月からAS-1763の中華圏における開発・商業化の権利を中国バイオノバ・ファーマシューティカルズ社に導出していましたが、バイオノバ社と協議の結果、2023年3月にこの権利を再取得する決定をいたしました。バイオノバ社は2022年3月に中国での治験開始についてIND申請の承認を得ており、当社は同社から最初のマイルストーン・ペイメントを受領しましたが、その後中国における厳しい感染症対策などの影響で治験開始が遅れていました。一方で当社の米国での治験開始準備が進んでおり、中国での臨床試験データを先行して得るという当初の目的の達成が困難と判断いたしました。中国は近年の急成長により、その医薬品市場規模は米国に次ぐ世界第2位となっており、今後も高い成

長が見込まれています。当社が中国を含む全世界の開発・販売権を持つことで、AS-1763の今後の導出交渉を進めやすくなると考えています。

※1 アメリカ食品医薬品局 (Food and Drug Administration)

■CDC7阻害剤AS-0141について

AS-0141は、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)を目指し、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います。日本国内で開発を進めており、2021年6月にフェーズ1の臨床試験を開始。用量漸増パートの結果を踏まえ、2023年中に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。AS-0141はCDC7を選択的かつ強力に阻害し、各種ヒト腫瘍移植モデルにおいて優れた抗腫瘍効果を示しています。他にない特徴をもった

AS-0141を丁寧に育てていきたいと考えています。

■新規がん免疫療法

(新規DGKα阻害剤:米国 ギリアド社へ導出)

2022年4月、ギリアド社開催のイベントにおいて、当社が2019年にギリアド社に導出した新規がん免疫療法の創薬プログラムから創出された新規DGKα阻害剤が、新薬候補化合物として紹介されました。がん治療薬として画期的な薬剤になると期待されており、ギリアド社による開発の進展を心待ちにしています。

免疫・炎症疾患領域

■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、2020年よりオランダでフェーズI臨床試験を開始。単回投与用量漸

増(SAD)試験を終え、全ての用量で安全性、忍容性および良好な薬物動態プロファイルを確認しています。2021年12月よりMAD試験が進行中。同試験の結果は2023年下期に得られる予定です。並行してパートナーリング活動も進めており、同試験の終了後は速やかに導出、もしくは共同開発を進めていく計画です。

■STINGアンタゴニストについて

(米国フレッシュ・トラックス・セラピューティクス社へ導出)

当社が創製した強力な作用を有する経口投与可能な新規STINGアンタゴニストに関する全世界における開発・商業化の独占的な権利をフレッシュ・トラックス・セラピューティクス社(FRTX社、旧社名:ブリッケル・バイオテック社)に供与。本ライセンス契約の対価として、契約一時金2百万ドル(2億27百万円)を受領しました。

■創薬事業の研究開発テーマと進捗状況

がん領域

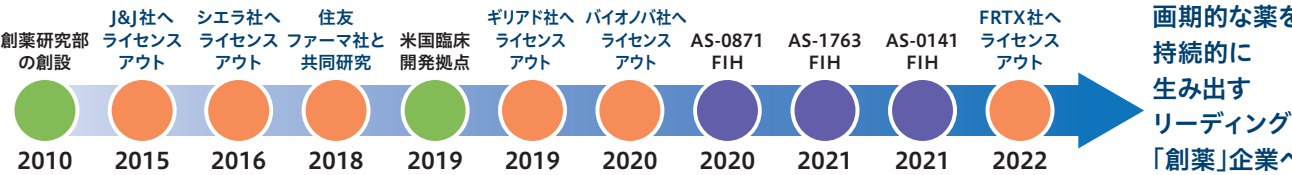
化合物	標的	対象疾患	探索・前臨床	臨床	開発パートナー
AS-0141	CDC7/ASK	がん			自社
低分子	DGKα	がん免疫	米ギリアド社に導出		Gilead Sciences
AS-1763	BTK	血液がん・がん免疫			自社
低分子	ALK5	血液がん・がん免疫			自社
低分子	CDK1	がん			自社

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	住友ファーマ社と共同研究		住友ファーマ
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	米フレッシュ・トラックス・セラピューティクス社に導出		Fresh Tracks Therapeutics

※2023年3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。

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



中長期計画

- AS-0871の導出
- 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 創薬支援事業の進捗は？

キナーゼという酵素はタンパク質の一種で、働き過ぎるとがんやリウマチなどの疾患を引き起こしてしまいます。これらの疾患をターゲットとしたキナーゼ阻害薬研究には、品質の高いキナーゼタンパク質が欠かせません。当社はキナーゼ創薬基盤技術をもとに、高品質なキナーゼタンパク質やキナーゼ阻害薬候補となる化合物のキナーゼに対する阻害率などを測定するプロフィリング・スクリーニングサービスを提供し研究を支援しています。

米国では、ビオチン化キナーゼタンパク質を中心に販売が好調。AI創薬企業などの新規顧客を含むバイオベンチャーからの需要も高くなっています。中国市場もキナーゼタンパク質の売上げが増加。国内も顧客の創薬研究をさらにサポートできるセルベースアッセイサービスによって前年比増となりました。高品質な商品・サービスにより、顧客のリピート率が向上しています。

Q5 今後の成長戦略は？

「AS-1763の価値最大化」に注力 飛躍的成長の実現を目指す

基本戦略は、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こと。導出後は、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るとというのが中長期的な目標であることに変わりありません。引き続き、3つの開発パイプラインの臨床試験を進め、価値最大化を目指していきます。

2023年は当社の創薬事業にとって重要な年になります。がん領域のAS-1763は米国におけるフェーズIb試験で初めて患者さんへの投与が行われます。AS-0141のフェーズI拡大パートではより多くの患者さんで安全性・有効性を評価していきます。免疫・炎症疾患領域に

についてもAS-0871のフェーズI/MAD試験を推進するとともに、導出もしくは共同開発のためのパートナーリング活動を進めていきます。

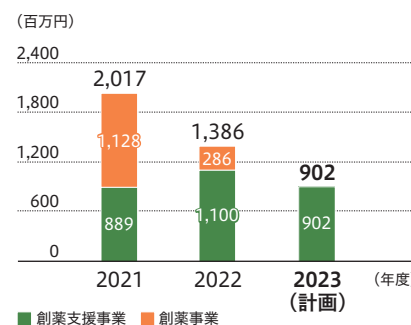
特に、次世代型BTK阻害剤「AS-1763の価値最大化」に注力。最適な試験をデザインし、2023年第一四半期中に最初の患者さんへの投与開始を予定しています。一般的に臨床試験はフェーズがIからII、IIIへとステージアップするほどコストが大きくなります。さらに米国における予想以上の物価上昇や円安により、臨床試験費用が従来に比べ大幅に高騰。追加の資金調達のために第20回新株予約権を発行しました。株主の皆様にご心配をおかけして大変申し訳ないと思いますが、「AS-1763の価値最大化」のためには先行投資が必要であり、臨床試験を速やかに進め、当社の真のバリューを上げていく所存です。

同時に、次なる成長を目指し、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。

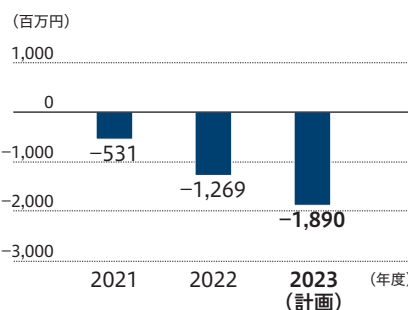
株主の皆様へのメッセージ

現在、がん治療は薬の併用が多くなっています。組み合わせによって、耐性が生じるのを遅らせたり、効果を高めたりできるからです。当社の開発品や導出品は、こうした治療に飛躍的な貢献をもたらす可能性を秘めています。そのポテンシャルを引き出し、薬の種として成長させるため、2023年はまさに正念場。一人でも多くの患者さんに届けられるように着実に臨床試験を進めるとともに、グローバル市場に影響力のあるパートナーへの導出を目指し、事業活動を進めていく所存です。新薬の研究開発は、人の健康や命に直結するもの。安全性、有効性はもちろんのこと、患者さんとそのご家族のQOL向上をめざし日々研究開発を進めています。開発にはもう少し時間を要しますが、明るい兆しは見えています。長い目でご支援くださいますよう、引き続きどうぞよろしくお願い申し上げます。

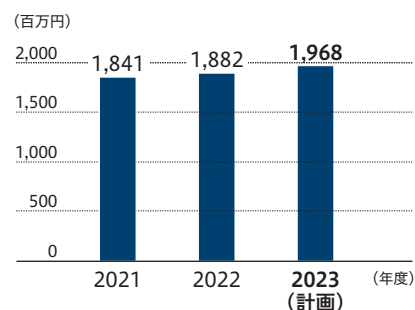
■ 連結売上高計画



■ 連結営業損益計画

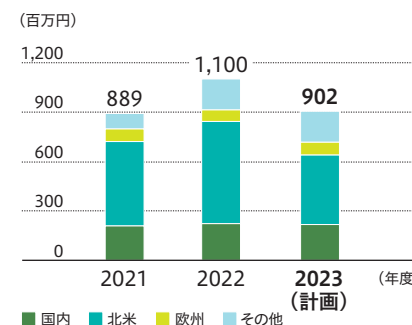


■ 研究開発費計画 (全社)

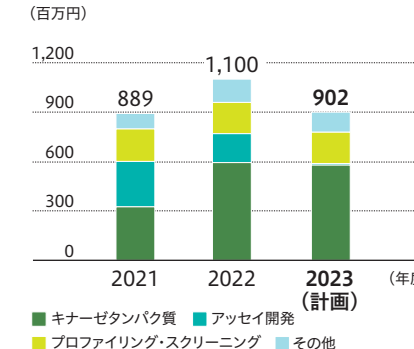


注：創薬事業のマイルストーン、契約一時金による収入は、時期や金額の予想が困難なため、2023年計画数値に織り込んでいません。

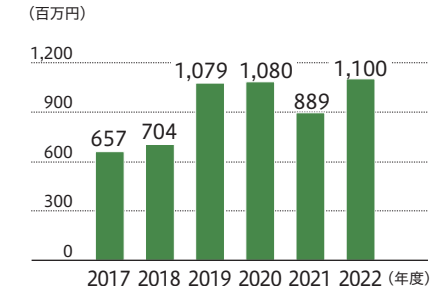
■ 創薬支援事業売上計画 (地域別)



■ 創薬支援事業売上計画 (製品別)



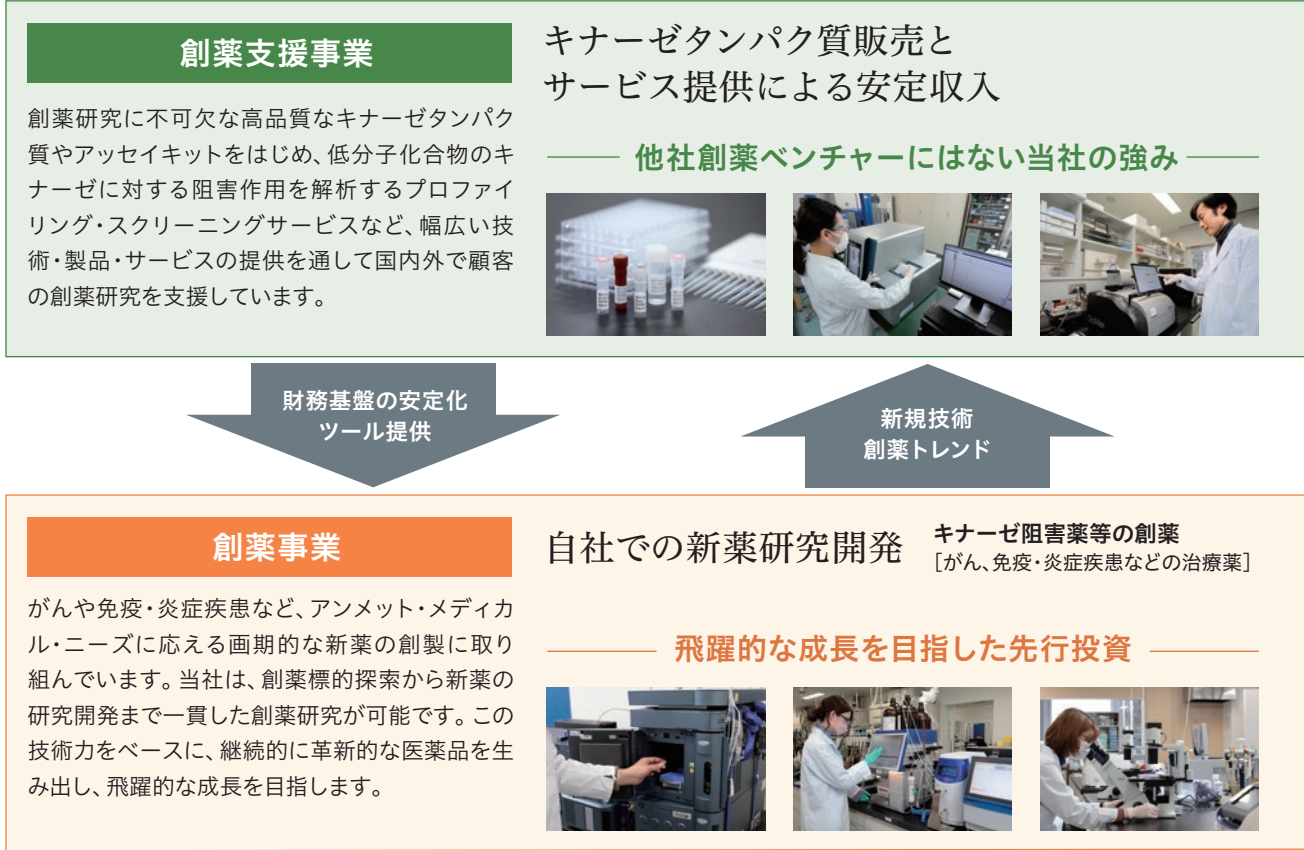
■ 創薬支援事業長期売上高推移



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

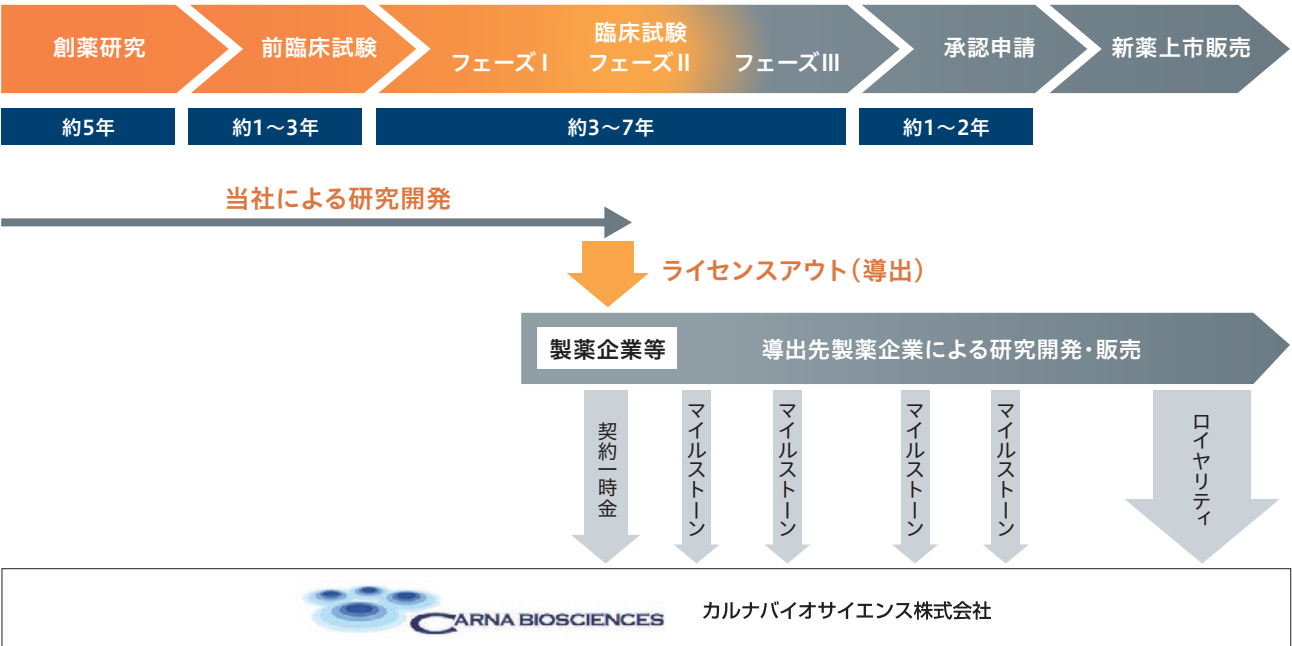
キナーゼタンパク質の販売やプロファイリング・スクリーニングの受託を担う「創薬支援事業」で安定的にキャッシュフローを創出し、これを「創薬事業」の研究費や臨床開発費用に充て、革新的な新薬の開発につなげています。



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(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。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 2021年12月31日現在	当連結会計年度 2022年12月31日現在
(資産の部)		
流動資産	5,318,487	4,104,316
固定資産	114,073	162,137
有形固定資産	51,574	100,231
無形固定資産	2,738	1,915
投資その他の資産	59,760	59,990
資産合計	5,432,560	4,266,453
(負債の部)		
流動負債	774,655	436,407
固定負債	342,332	188,201
負債合計	1,116,988	624,609
(純資産の部)		
株主資本	4,291,942	3,592,988
資本金	1,056,953	1,382,246
資本剰余金	4,808,163	5,133,456
利益剰余金	△1,572,951	△2,922,490
自己株式	△222	△222
その他の包括利益累計額	13,789	31,467
純資産合計	4,315,572	3,641,844
負債純資産合計	5,432,560	4,266,453

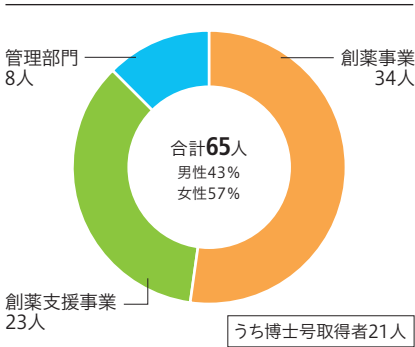
ESGへの取り組み

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。



透明性の高い
企業統治

従業員構成



連結損益計算書

(単位:千円)		
科 目	前連結会計年度 2021年1月1日から 2021年12月31日まで	当連結会計年度 2022年1月1日から 2022年12月31日まで
売上高	2,017,529	1,386,748
売上総利益	1,882,141	1,215,197
営業損失(△)	△531,135	△1,269,888
経常損失(△)	△522,992	△1,278,820
税金等調整前当期純損失(△)	△532,499	△1,323,399
親会社株主に帰属する当期純損失(△)	△534,474	△1,349,539

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 2021年1月1日から 2021年12月31日まで	当連結会計年度 2022年1月1日から 2022年12月31日まで
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,536,612	△810,338
投資活動によるキャッシュ・フロー	△41,677	△125,696
財務活動によるキャッシュ・フロー	1,064,987	367,006
現金及び現金同等物に係る換算差額	31,994	130,242
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△481,307	△438,786
現金及び現金同等物の期首残高	4,299,142	3,817,834
現金及び現金同等物の期末残高	3,817,834	3,379,048

株式の状況／株主メモ (2022年12月31日現在)

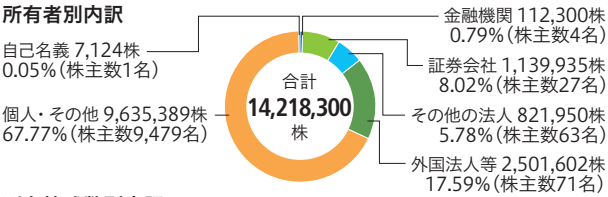
株式の状況

発行可能株式総数	30,000,000株
発行済株式の総数	14,218,300株
株主数	9,645名

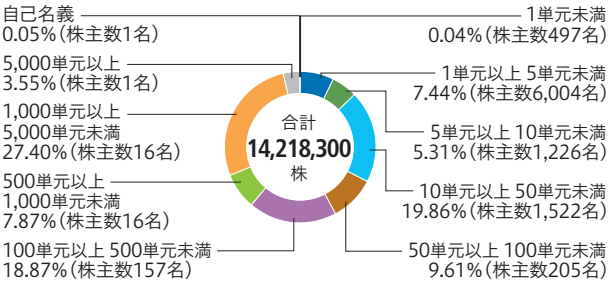
大株主

株主名	持株数 (株)	持株比率 (%)
小野薬品工業株式会社	504,500	3.55
STATE STREET BANK AND TRUST COMPANY 505019	438,900	3.08
MSIP CLIENT SECURITIES	384,425	2.70
株式会社 SBI 証券	351,675	2.47
吉野 公一郎	324,100	2.28
上原 俊彦	315,000	2.21
BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNYM GCM CLIENT ACCTS M ILM FE	295,394	2.07
BNYM SA/NV FOR BNYM FOR BNY GCM CLIENT ACCOUNTS M LSCB RD	260,497	1.83
BNY GCM CLIENT ACCOUNT JPRD AC ISG (FE-AC)	254,938	1.79
JPモルガン証券株式会社	220,807	1.55

株式・株主分布



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/agency/index.html

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/2023.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。

会社概要 (2022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	13億8,224万円
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	62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	東京証券取引所グロース(証券コード4572)

役員 (2023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
取締役	有村 昭典		

海外子会社 (2023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

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>



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。