

logmi ファイナンス 個人投資家向けIRセミナー 会社説明資料

カルナバイオサイエンス株式会社
2026年2月20日



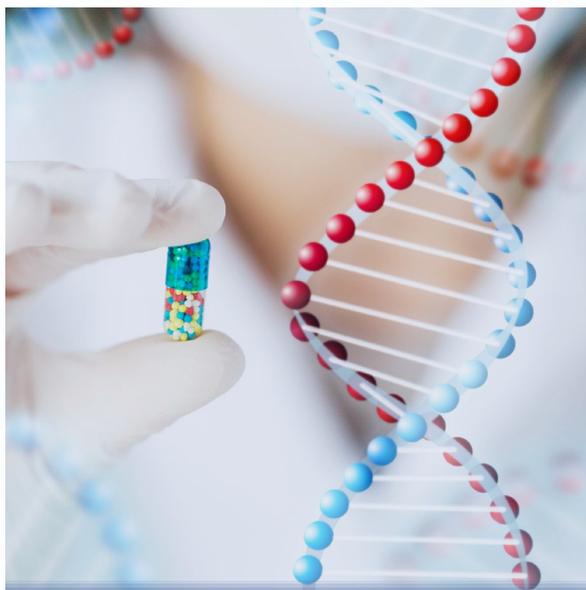
目次

- 1** 事業概要
- 2** 臨床開発段階のパイプラインのご紹介
- 3** 資金調達に関する補足説明 (1/29発表)



事業概要

当社はキナーゼ※創薬に関する技術を基に2事業を展開しています



創薬事業

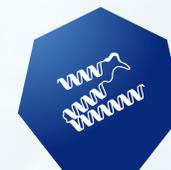
当社自身が研究開発を行い、
新薬の創出を目指す



創薬支援事業

キナーゼ阻害薬研究を行う製薬企業等
に向けた製品・サービスを提供

※: キナーゼは細胞内の信号伝達 (細胞の増殖・分裂・死亡の指令など) において重要な役割を担う存在で、キナーゼの異常はさまざまな疾患の原因と考えられています。



キナーゼ阻害薬等の 低分子医薬品にフォーカス

独自の化合物ライブラリや様々な創薬技術を保有しています



製薬会社からのスピンアウトで創業

大手製薬会社からのスピンアウトに始まる当社は創薬研究に関する技術や知見を幅広く保有し本格的な創薬研究が可能な研究開発チームを保有しています



国内外の大手製薬会社と様々な実績

ギリアド・サイエンシズ社に当社が創製した創薬プログラムを導出しています
また国内大手製薬会社である住友ファーマ社との共同研究も行っています



がん、免疫・炎症疾患を対象とする 複数の臨床開発段階パイプラインを保有

臨床開発段階にある自社開発パイプラインとして3つの化合物の開発を進めています

2003年に日本オルガノンからのスピンアウトにより設立後、キナーゼ創薬の領域において事業を展開してまいりました



2003

キナーゼ創薬基盤技術に強みを持つ創業メンバーが日本オルガノンからスピンアウトして当社設立



キナーゼ創薬研究に必要なキナーゼタンパク質、スクリーニング・プロファイリングサービスを製薬会社に提供



2010

創薬研究部を創設し、がん、免疫・炎症疾患を対象としたキナーゼ創薬研究を本格的に開始



2019

米国カリフォルニア州サウスサンフランシスコ市に臨床開発拠点を開設



画期的な薬を持続的に生み出す

リーディング「創薬」企業へ



2003

導出実績

- 2015 ヤンセン・バイオテック (現Johnson & Johnson Innovative Medicine) へ導出
- 2016 シエラ社 (現GSK) へ導出
- 2018 住友ファーマと共同創薬
- 2019 ギリアド・サイエンシズ社へ導出
- 2020 バイオノバ社へ導出
- 2022 FRTX社へ導出

パイプライン

- 2020 BTK阻害剤sofnobrutinib (AS-0871) の臨床試験開始
- 2021 BTK阻害剤docirbrutinib(AS-1763) の臨床試験開始
- CDC7阻害剤monzosertib(AS-0141) の臨床試験開始

2026年計画

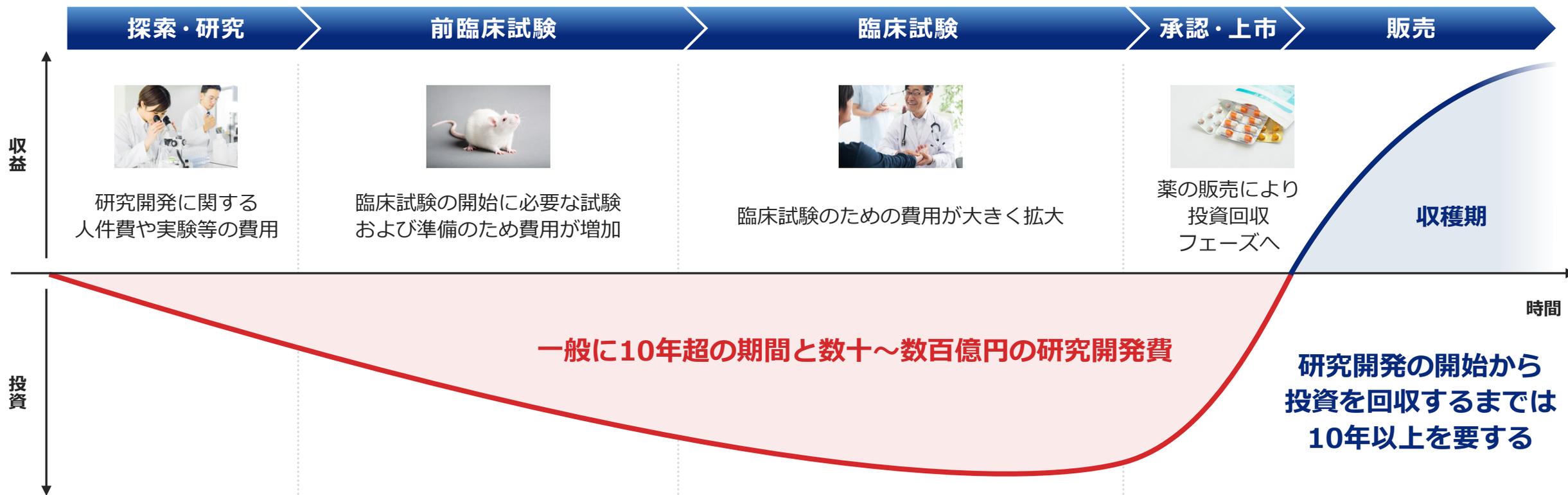
- BTK阻害剤sofnobrutinib(AS-0871) のパートナーリング活動
- BTK阻害剤docirbrutinib(AS-1763)、CDC7阻害剤monzosertib(AS-0141)の臨床試験推進
- 臨床試験を継続しながらパートナーリング活動推進
- 臨床開発体制のさらなる強化
- 次世代のパイプラインの構築

中長期計画

- 開発パイプラインの臨床試験推進
- パートナーリング活動推進
- 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

新薬開発のプロセスと収益化までの構造

新薬候補の探索から市場で使われるようになるまでは一般に10~15年がかかり、多額の研究開発費がかかります



様々なアイデアに基づいて新薬の候補となり得る化合物の探索と候補の評価を行います



医薬品候補化合物について、薬効薬理、薬物動態、安全性や毒性などの評価を行うとともに、製造方法や製剤の安定性などの検討も行います



実際に、健康成人や患者に投与を行い、安全性や効果を確認し、新薬としての承認を受けます。

臨床試験の一般的な流れ

Phase 1
安全性の評価

Phase 2
効果の評価
(小規模)

Phase 3
効果の評価
(大規模)



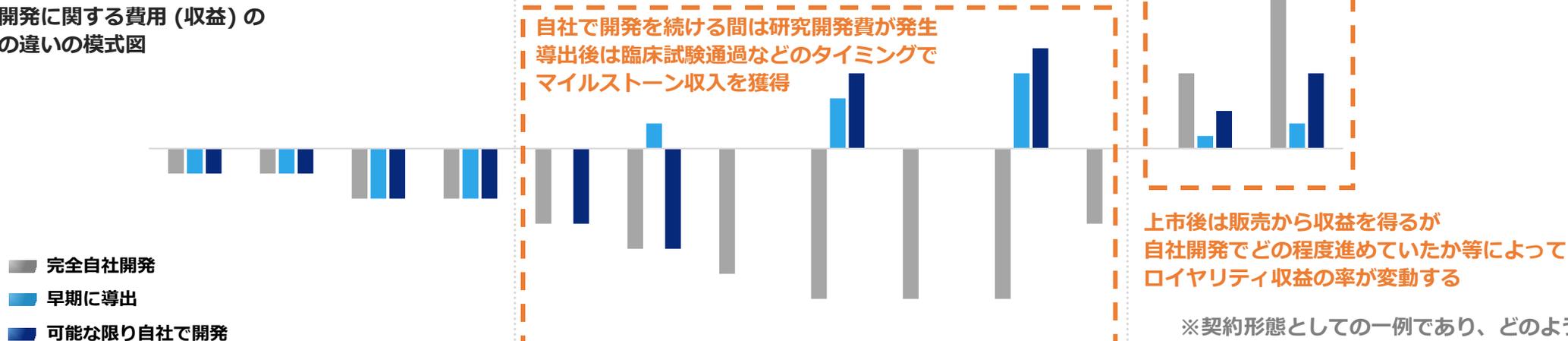
新薬として発売され、治療のために患者に処方されます

創薬ベンチャーの収益モデル

研究開発費の負担が大きいいため、自社で最後まで開発を行うリスクを取ることが難しい場合、研究開発の途中段階で製薬企業等へ導出※1し、マイルストーン収入※2や上市後のロイヤリティ収入を得る形式を取ることがあります。



研究開発に関する費用 (収益) の発生の違いの模式図



※1 企業が保有する医薬品開発の権利や販売権を譲渡すること。ライセンスアウトとも。

※2 導出したパイプラインについて、臨床試験の通過時など、新薬開発の段階に応じて導出先から得られる収益

※契約形態としての一例であり、どのような新薬かなどにより違いがあります

創薬ベンチャーはパイプラインを創出するとともに、それぞれのパイプラインの中長期的な価値を高めていくことで企業価値の最大化に努めております。

パイプラインの価値の構成要素

市場規模

- ✓ どのような疾患を対象とするか
- ✓ 対象疾患の拡大は可能かどうか
- ✓ どのような使われ方になるか

想定シェア

- ✓ 既存薬と比べてどのような優位性や差別化がされているか

契約形態 (ロイヤリティ率)

- ✓ どの段階まで自社で開発を進めるか

上市の確度

- ✓ 臨床試験の結果や進捗状況はどうか



パイプラインの継続的な拡大



企業価値の向上

当社の事業概要及び業績動向

当社は創薬事業と創薬支援事業の2事業を軸として展開しております。
近年ではdocirbrutinib等の自社パイプラインの臨床試験を進めており、試験のための費用が拡大しております。

創薬事業

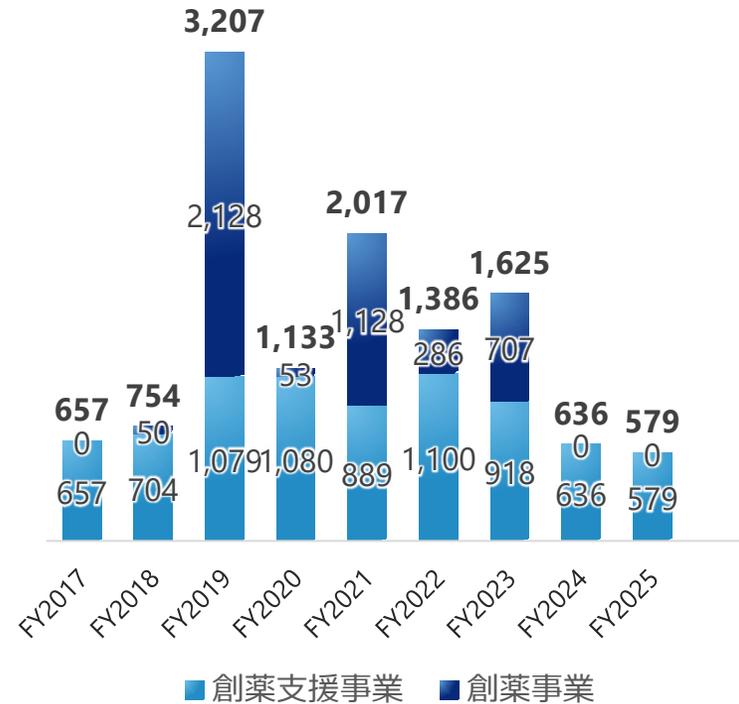
- ✓ 革新的なキナーゼ阻害薬等の低分子医薬品の研究開発に取り組んでいます。
- ✓ がん、免疫・炎症疾患を重点領域として注力しています。
- ✓ がん領域は最大フェーズ2試験まで、その他はフェーズ1試験もしくは前臨床試験まで実施し、早期に導出することを基本方針としています。

創薬支援事業

- ✓ 当社のキナーゼ創薬基盤技術を基に、リード化合物の創出や最適化の際に用いられるキナーゼタンパク質やアッセイキットの販売、プロファイリングやスクリーニングなどのサービスを提供しています。

売上高推移

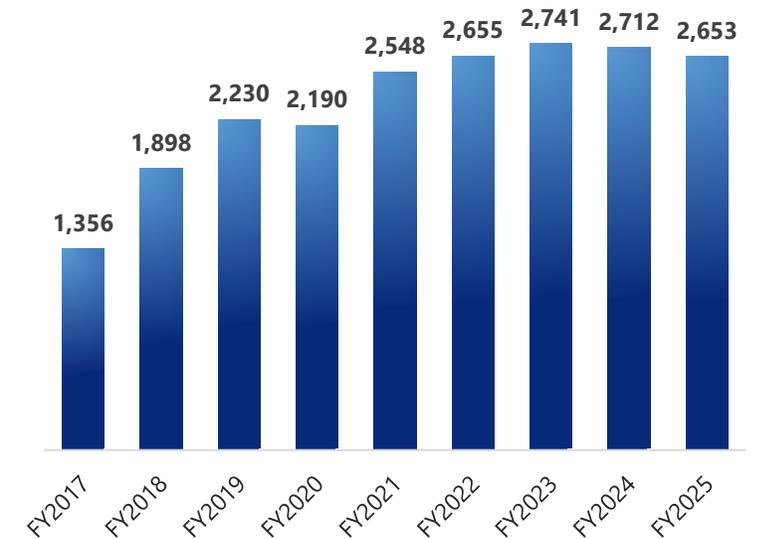
(百万円)



顧客の研究開発規模の縮小などにより、FY2025では前年比で創薬支援事業が減収となりました。

営業費用推移

(百万円)



docirbrutinib等の自社パイプラインの臨床試験開始に伴い、研究開発費等を中心に営業費用は拡大傾向にあります。



臨床開発段階の パイプラインのご紹介

現在、docirbrutinib及びmonzosertibについてフェーズ1試験に取り組んでおります。
sofnobrutinibはフェーズ1試験を完了し、フェーズ2以降の試験を進めるためにパートナー確保に取り組んでおります。

docirbrutinib

フェーズ1b試験 実施中

(米国, 2023年8月~)

ポイント

- ✓ 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医師が多施設共同試験を主導



THE UNIVERSITY OF TEXAS
MD Anderson
Cancer Center

- ✓ 2024年10月に用量拡大パートの投与を開始

アップデート



2025年12月アメリカ血液学会 (ASH2025) にて、最新の臨床データ及び非臨床研究の結果について発表

sofnobrutinib

フェーズ1試験 完了

(オランダ, 2023年11月)

ポイント

- ✓ 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

アップデート

—

monzosertib

フェーズ1試験 実施中

(日本, 2021年6月~)

ポイント

- ✓ 国立がん研究センター中央病院及び東病院、がん研有明病院にてフェーズ1試験を実施中

アップデート

- ✓ フェーズ1試験（国内、固形がん・血液がん）最後の患者の治験が終了し、データ解析中
- ✓ フェーズ1b試験（医師主導治験、血液がん）本フェーズ1b試験の実施に向けて、がん治療分野で米国No.1と評価されるテキサス大学MDアンダーソンがんセンター*とMOUを締結

*データ出所: U.S. News & World Report 「Best Hospitals for Cancer」 ランキング

当社は現在、ブロックバスターのポテンシャルを有するdocirbrutinibの臨床試験（米国）に取り組んでおります。また、monzosertibについては、がん治療分野で米国No.1※と評価されるテキサス大学MDアンダーソンがんセンターとMOUを締結し、医師主導治験を開始する予定です。



docirbrutinib (AS-1763)

フェーズ1b試験 実施中
(米国, 2023年8月～)

対象疾患と目指す製品像

B細胞性悪性腫瘍（CLL/SLL等の血液がんの一種）の治療を目的とした低分子経口薬（非共有結合型BTK阻害剤）

想定される市場規模や競合薬

既存のBTK阻害薬の売上高の合計は現時点でも120億ドルを超え、今後の成長も期待されている

POINT

- ✓ 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医師が多施設共同試験を主導
- ✓ 2024年10月に用量拡大パートの投与を開始



THE UNIVERSITY OF TEXAS
MD Anderson
Cancer Center

UP DATE

- ✓ 2025年12月アメリカ血液学会 (ASH2025) にて、最新の臨床データ及び非臨床研究の結果について発表



monzosertib (AS-0141)

フェーズ1試験 実施中
(日本, 2021年6月～)

対象疾患と目指す製品像

悪性腫瘍（固形がんおよび血液がん）の治療を目的とした低分子経口薬（CDC7阻害剤）

想定される市場規模や競合薬

急性骨髄性白血病（AML）治療薬の市場規模は38億ドルに達しており、今後の成長も期待されている

POINT

- ✓ 国立がん研究センター中央病院及び東病院、がん研有明病院にてフェーズ1試験を実施中



UP DATE

- ✓ フェーズ1試験（国内、固形がん・血液がん）最後の患者の治験が終了し、データ解析中
- ✓ フェーズ1b試験（医師主導治験、血液がん）本フェーズ1b試験の実施に向けて、がん治療分野で米国No.1※と評価されるテキサス大学MDアンダーソンがんセンターとMOUを締結



docirbrutinib (AS-1763)

概要

特徴

競合薬との差別化

市場動向

競合薬と比べても、docirbrutinibは臨床試験途中結果において重篤な副作用が少ないことが示唆されています。また、非臨床試験において、既存のBTK阻害薬が効かないBTK変異体に対しても強い効果を示すという結果が出ています。

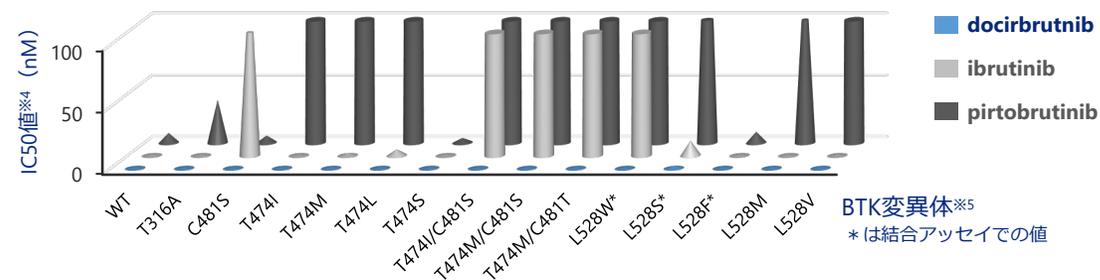
特徴 01 高い安全性



- 治験薬に関連した心房細動や高血圧は見られませんでした。またGrade 3以上の有害事象（因果関係あり）の発生割合は13%と報告されており、高い安全性を示しています
- また、副作用が少ないことから多くの患者において投与が継続され、既に複数の患者で投与期間が1年以上に達しており、高い安全性が示唆されています。(先行薬であるibrutinibは約41%の患者が投与中止となっており、その半数は副作用による中止であることが報告されています^{※2})
- 今後、さらに症例数を増やし、安全性の高さを証明していく予定です

特徴 02 変異体に対する効果の高さ^{※3}

BTK変異体に対するBTK阻害薬の阻害濃度 (IC50)



- 非臨床試験において、ibrutinibやpirtobrutinibが効きにくいBTK変異体に対してもdocirbrutinibは効果があるという結果(ibrutinibやpirtobrutinibはBTK変異体に対するIC50値^{※4}が大きく変化することに対して、docirbrutinibは測定したBTK変異体に対してIC50値が全て小さい(効果が高い))
- この結果から、docirbrutinibは既存BTK阻害薬に対して薬剤耐性となった患者に対しても効果を期待

※1 フェーズ1b試験の途中結果に基づく数値 (ASH2025発表データ) ※2 Mato AR, et al., Haematologica. 2018;103(5):874-879から引用

※3データは第66回アメリカ血液学会年次総会ポスター発表より抜粋 ※4 IC50値: 特定の酵素や細胞、受容体について、その50%の働きを阻害するのに必要な濃度で、小さい程効果が高いとされる ※5 BTK変異体 T316A, C481S等: BTKにおける薬剤耐性変異を示すものであり、それぞれアミノ酸の種類と変異位置を表しています



docirbrutinib (AS-1763)

概要

特徴

競合薬との差別化

市場動向

CLL既存治療の限界・未充足ニーズ



既存治療への耐性

既存 BTK 阻害薬投与後に使える有効な治療薬が無い

特にPirtobrutinib治療後は最大の未充足ニーズ領域



深い奏功^{※1}の維持

深い奏功^{※1}に達する前に副作用で治療が中断

本来得られる治療効果の最大化を阻害



安全性

心房細動・血圧上昇・出血は治療中断を招く主因

治療中断は深い奏功(uMRD)^{※1}への到達を阻害



経済性

長期治療のコスト・医療資源負担が増大

再発時にも有効な治療選択肢を確保できる設計が必要

docirbrutinibの可能性

既存治療薬が効かなくなった患者において、十分な有効性を持続

経口既存治療薬とのコンビネーションのみで深い奏功^{※1}の達成、維持の可能性

高齢者でも治療を妨げない高度な安全性プロファイル

外来通院中心で長期継続可能な“経口薬×低負担”の治療モデル

docirbrutinibが実現し得る次世代のCLL治療(3本の柱)

未充足領域

セカンドライン治療^{※3} / pirtobrutinib治療後
既存BTK阻害薬・pirtobrutinib耐性後も反応が長く続く“次世代BTK阻害薬”

中期・拡大市場

ファーストライン治療^{※2} / セカンドライン治療^{※3}
“深い奏功^{※1}×高い治療継続”が両立できるクラス
最高レベルの経口薬コンビネーション治療

長期・最大市場

ファーストライン治療^{※2}
主要な患者層である高齢者でも有効で安全に治療を続けやすい次世代 BTK阻害薬

※1 本スライド中の「深い奏功」については、次ページで解説しています。

※2 ファーストライン治療 患者に対して、初めて実施される薬物治療

※3 セカンドライン治療 初回薬物治療が不応不耐となるなどの理由で継続できない患者に対し、2番目に選択される治療



docirbrutinib (AS-1763)

概要

特徴

競合薬との差別化

市場動向

深い奏功 (Deep Response) および uMRD (undetectable Minimal Residual Disease) の解説

深い奏功とは：以下の状態が達成されることを指します。

- **完全奏功 (CR) または完全寛解：**血液検査やCT検査などで、腫瘍の増大や症状が完全に無くなった状態。
- **uMRD (undetectable Minimal Residual Disease: 検出不能な微小残存病変)：**非常に感度の高い技術 (フローサイトメトリーやPCR法) を用いても、10,000~100,000個の正常な白血球の中に1個以下のがん細胞しか存在しない状態。

深い奏功の重要性：深い奏功 (特にuMRD) を達成することで、以下のメリットが期待されます。

- **無増悪生存期間 (PFS) の延長：**再発までの期間が著しく長くなる。
- **長期の無治療期間 (Treatment-free Remission)：**治療を中止しても、病気が進行せず安定した状態を維持できる。

深い奏功をもたらす治療法：一般に、BTK阻害薬単独でuMRDが達成されることは稀だが、BTK阻害薬と他の治療、例えばBCL2阻害薬 (ベネトクラクス) を組み合わせると残余がん細胞がさらに死滅して、uMRDが達成されることが多い。しかしながら、既存のBTK阻害薬では副作用や耐性発現のために、この組み合わせ治療に限界があり、副作用が少なく耐性発現が少ないBTK阻害薬の開発が望まれている。

docirbrutinibはこの期待に応えられる可能性が有る。

docirbrutinib (AS-1763)

概要

特徴

競合薬との差別化

市場動向

現在他社において開発中の競合BTK阻害剤・BTK分解剤に対しても、各種変異体に対して有効でありつつ、副作用が少ないという点で、docirbrutinibは優位にあると当社は考えております。

ibrutinibに薬剤耐性^{※1}となったB細胞性悪性腫瘍に効果が期待される非共有結合型BTK阻害剤

化合物	作用機作	変異体に対する効果	G3以上の副作用	開発会社	開発段階
pirtobrutinib (LOXO-305)	非共有結合型 BTK阻害剤	T474I, L528W等の 変異に無効	比較的 少ない	Lilly (Loxo)	承認/P3
nemtabrutinib (ARQ 531)	非共有結合型 BTK阻害剤	ある程度有効	有り	Merck (ArQule)	P3
NX-5948	BTK分解剤	各種変異体に有効	比較的 少ない	Nurix	P2
BGB-16673	BTK分解剤	各種変異体に有効	有り	BeOne	P3
docirbrutinib (AS-1763)	非共有結合型 BTK阻害剤	T474I、L528Wを含む 各種変異体に有効	P.13参照	Carna	P1

※1 薬剤耐性とは：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

docirbrutinib (AS-1763)

概要

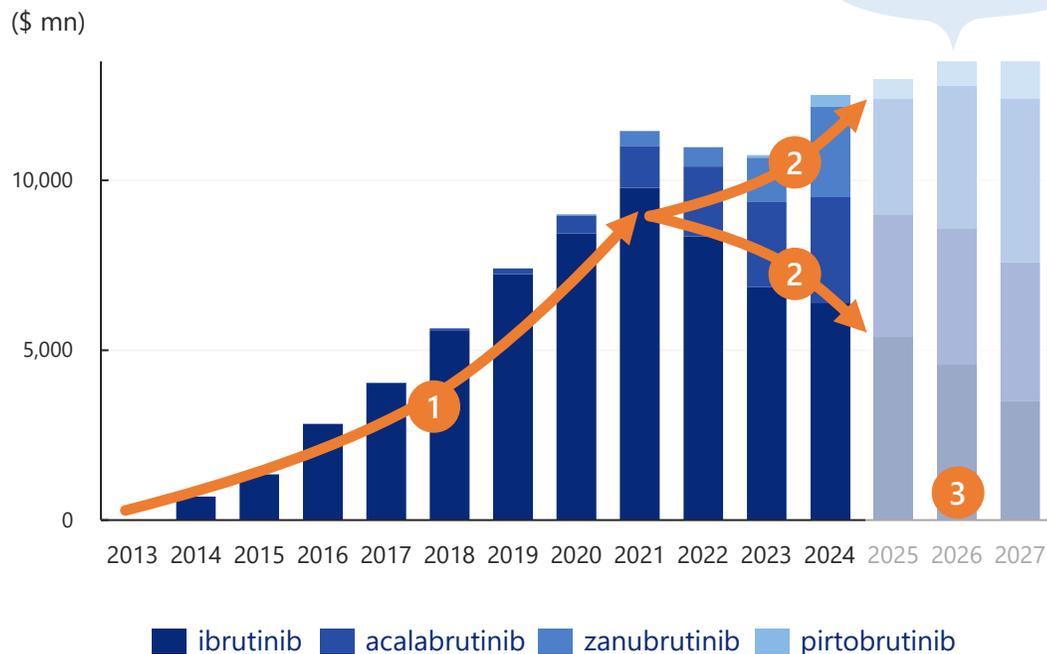
特徴

競合薬との差別化

市場動向

競合ブロックバスターの合計売上規模は120億ドルを超えており、今後も拡大が予測されています。また、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と考えています

競合ブロックバスター売上推移*



- 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) の働きを助ける酵素であるBTK (ブルトン型チロシンキナーゼ) の働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

*データ出所: Clarivate



資金調達に関する補足説明 (1/29公表)

(2026年1月29日発表) 資金調達の概要

引き続きdocirbrutinib (AS-1763) 及びmonzosertib (AS-0141) の臨床開発を中心とする当社の創薬事業を着実に推進するためには財務基盤の強化が必要であることから、本資金調達の実施を決定しました。
無担保普通社債の発行に加え、当社代表取締役に対する新株式の割当および新株予約権の発行を実施いたします。

第2回無担保普通社債 (以下本社債)

発行価額の総額	1,711百万円 (額面100円につき92.5円)
払込期日	2026年2月17日
償還期日	2028年2月17日
利率	0%
割当先	Cantor Fitzgerald Europe

社債の額面総額

総額 **1,850** 百万円

✓ 本新株予約権の行使進捗に応じて順次償還し、負債リスクを低減

当社代表取締役に対する新株式割当

払込金額の総額	20百万円 (割当価格 433円)
割当先	当社代表取締役 吉野 公一郎

発行株式数

46,200 株

- ✓ 当社代表取締役である吉野公一郎による時価での新株式引受の意向を受け、割当を決議
- ✓ 当社の中長期の事業成長に対して代表取締役自ら出資により強いコミットメントを表明

docirbrutinib (AS-1763) 開発促進新株予約権 (以下本新株予約権)

新株予約権の総数	76,983個
潜在株式数	7,698,300株
当初行使価額※1	389.7円
割当先	Cantor Fitzgerald Europe

調達資金の額※2

総額 **3,015** 百万円

(発行諸費用控除後の
差引手取概算額 2,995百万円)

※1 行使価額は行使請求日の属する週の前週最終取引日の90%に修正

※2 本新株予約権が当初行使価額に基づき全て行使された場合の調達金額
(新株予約権発行価額総額15百万円を含む)

✓ 行使代金により本社債を償還後、今後の当社の株価上昇局面において追加の事業資金の調達を実現

第1回新株予約権付社債の買入消却

発行日	2025年7月28日
買入消却実施日	2026年2月17日
買入消却資金	本社債による調達資金
利率	1%/年
減少する潜在株式数	791,389株

買入消却の総額

250 百万円

- ✓ 本社債による調達資金により買入消却
- ✓ 金利コスト及び潜在株式数を低減



本資金調達の内訳及び資金使途の詳細は以下の通りです。



本資金調達による調達額および社債の買入消却・償還費用

第2回無担保普通社債	1,711百万円
docirbrutinib (AS-1763) 開発促進新株予約権	※2,995百万円
<small>※本新株予約権が当初行使価額に基づき全て行使された場合の調達金額（新株予約権発行価額総額15百万円を含む）から発行諸費用を控除した差引手取概算額</small>	
第三者割当増資	20百万円
本資金調達による調達額 計 4,726百万円	
第1回新株予約権付社債の買入消却	250百万円
第2回無担保普通社債の繰上償還	1,850百万円
社債の買入消却・償還費用 計 2,100百万円	
本資金調達による調達額 – 社債の買入消却・償還費用 計 2,626百万円	

資金使途

docirbrutinib (AS-1763) 及びmonzosertib (AS-0141) の臨床開発費用	1,335百万円
開発化合物の創製・研究費用等	762百万円
docirbrutinib (AS-1763) 及びmonzosertib (AS-0141) の非臨床研究費用を含む	
運転資金	529百万円

合計 2,626百万円



本資料は投資家の皆様への情報提供のみを目的としたものであり、売買の勧誘を目的としたものではありません
本資料における、将来予想に関する記述につきましては、目標や予測に基づいており、確約や保証を与えるものではありません
将来における当社の業績が、現在の当社の将来予想と異なる結果になることがある点を認識された上で、ご利用下さい
また、業界等に関する記述につきましても、信頼できると思われる各種データに基づいて作成されていますが、当社はその正確性、完全性を保証するものではありません
本資料は、投資家の皆様がいかなる目的に利用される場合においても、ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものです



カルナ《CARNA》は、ローマ神話に登場する人間の健康を守る女神で、cardiac（心臓）の語源とも言われています。バイオサイエンス
《BIOSCIENCES》は、生物科学と言われ、生物学（Biology）と生命科学（Life Science）から、つくられた言葉です。「生命科学の世紀」とも言われる21世紀の初めに、カルナバイオサイエンス社とともに新しい女神“カルナ”が誕生しました

カルナバイオサイエンス株式会社

経営管理本部 経営企画部

〒650-0047

兵庫県神戸市中央区港島南町1-5-5 BMA3F

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

ir-team@carnabio.com