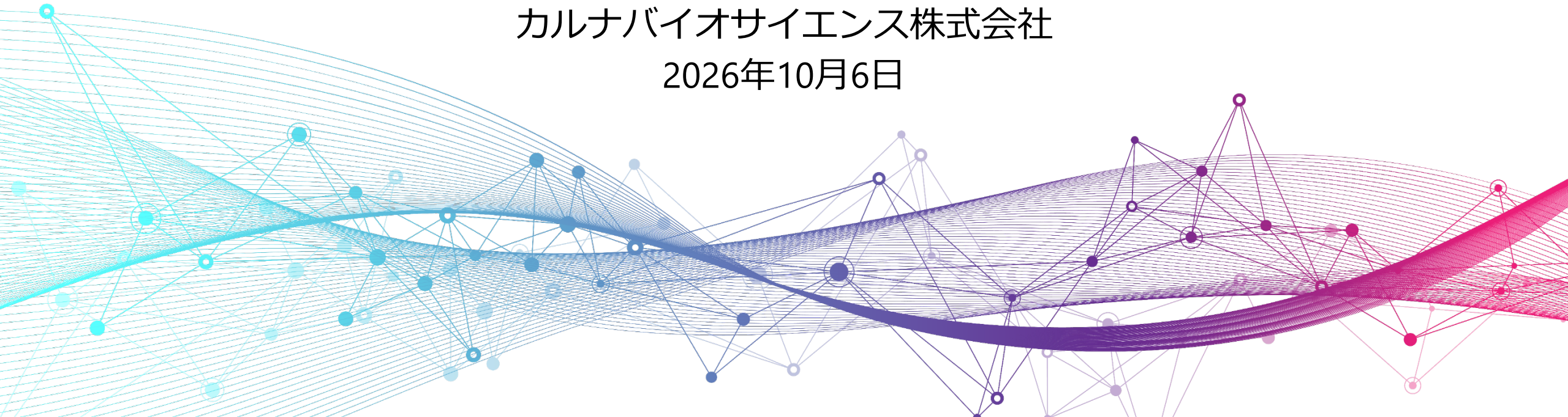


logmi ファイナンス 個人投資家向けIRセミナー 会社説明資料

カルナバイオサイエンス株式会社
2026年10月6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 (9/28発表)



事業概要



カルナバイオサイエンスについて



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、キナーゼの異常は様々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

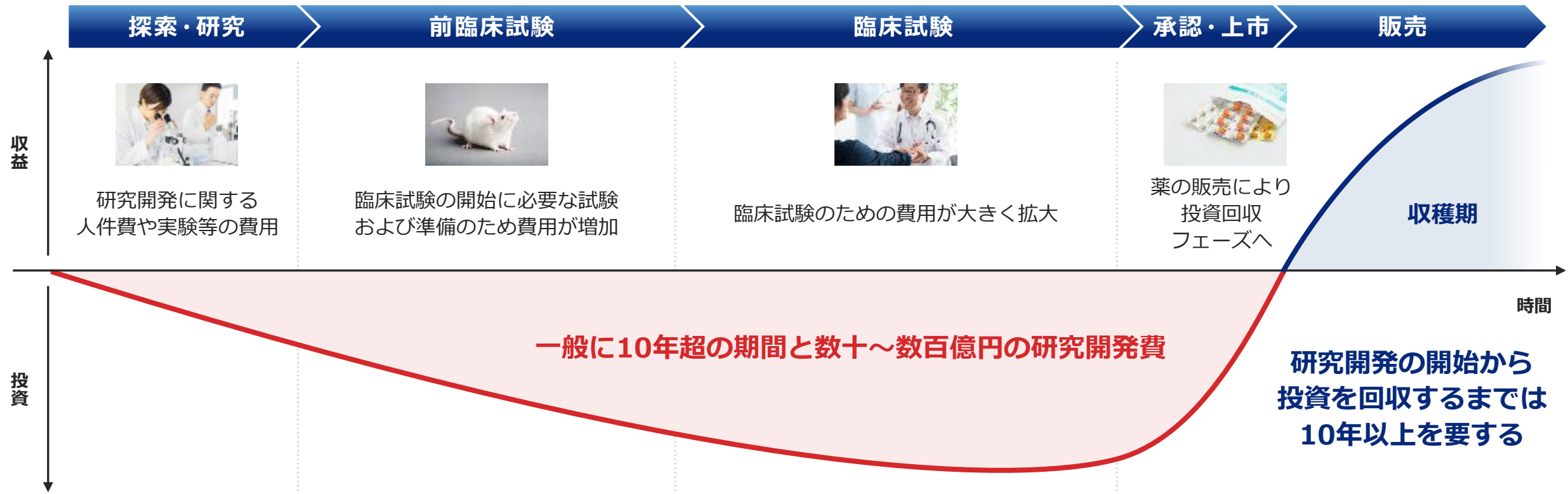
- BTK阻害剤sofnobrutinib(AS-0871) のパートナーリング活動
- BTK阻害剤docirbrutinib(AS-1763)、CDC7阻害剤monzosertib(AS-0141)の臨床試験推進
- 臨床試験を継続しながらパートナーリング活動推進
- 臨床開発体制のさらなる強化
- 次世代のパイプラインの構築

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



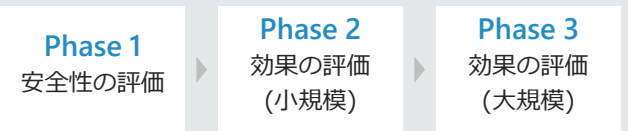
様々なアイデアに基づいて新薬の候補となり得る化合物の探索と候補の評価を行います



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



臨床試験の一般的な流れ



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。



新薬として発売され、治療のために患者に処方されます



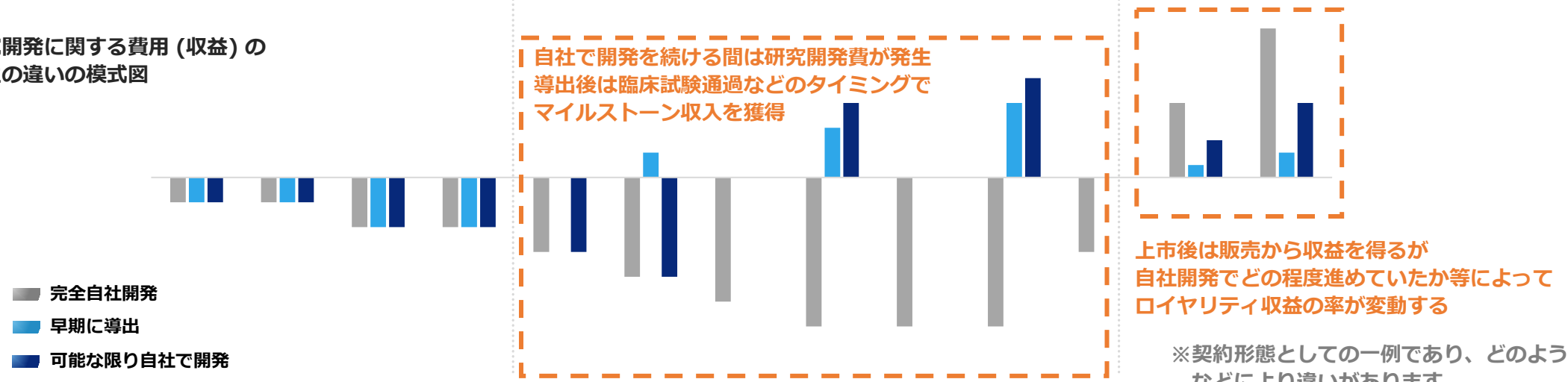
創薬ベンチャーの収益モデル



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。

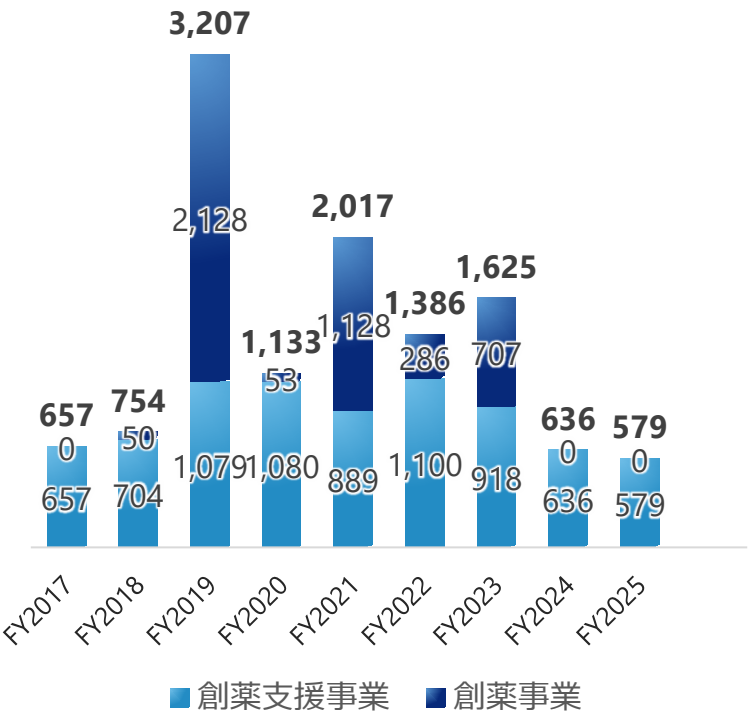
創薬事業

- ✓ 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

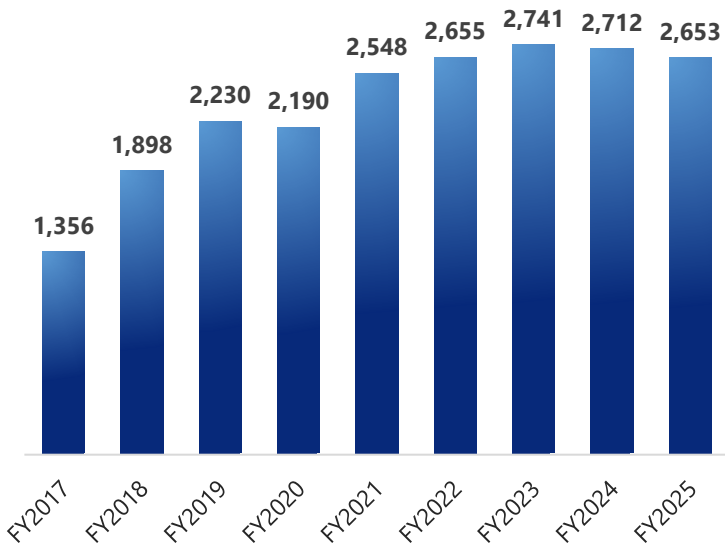
- ✓ 当社のキナーゼ創薬基盤技術を基に、リード化合物の創出や最適化の際に用いられるキナーゼタンパク質やアッセイキットの販売、プロファイリングやスクリーニングなどのサービスを提供しています。

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 パイプラインの現況

現在、docirbrutinibについてフェーズ1試験に取り組んでおり、monzosertibについてはフェーズ1b試験の準備中です。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

対象疾患：慢性リンパ性白血病（CLL）などの血液がん

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



✓ 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

アップデート

- ✓ 欧州血液学会 (EHA2026) において、フェーズ1b試験の有望な途中結果を発表（6月）
- ✓ 非臨床研究に関する論文をBlood Cancer Journal誌に発表（5月）



sofnobrutinib

対象疾患：免疫・炎症疾患

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

対象疾患：固形がん、急性骨髄性白血病などの血液がん

フェーズ1b試験 準備中

(米国, 医師主導治験)

アップデート

- ✓ フェーズ1試験（国内）
最後の患者の治験が終了
- ✓ フェーズ1b試験（医師主導治験、血液がん）
開始に向けて準備中

医師主導治験 責任医師
テキサス大学 MDアンダーソンがんセンター
白血病科 Abhishek Maiti医師

- ✓ FDAオーファンドラッグ指定（ODD）を取得（7月）
- ✓ アメリカ癌学会年次総会(AACR2026) において、非臨床研究によって得られた知見を発表（4月）



docirbrutinib (AS-1763)



EHA2026において、docirbrutinibのフェーズ1b試験に関する最新データを発表しました
症例数の拡大後も、良好な安全性プロファイルおよび有効性が一貫して確認されています

フェーズ1b試験・途中結果



安全性

- ✓ 用量漸増パートにおいて良好な忍容性が確認されました
- ✓ 因果関係のあるグレード3以上の有害事象は10%と概して高い安全性を示しました



有効性

- ✓ CLL/SLL、MCL、WM※患者において、良好な奏効率が確認されました
- ✓ 暫定的な第2相試験推奨用量（RP2D）として、400 mg BIDが選択されました
- ✓ 有効性の検証に向けて、さらなる症例数の追加を進めています

※ WMは血中IgMレベルで抗腫瘍効果を評価

docirbrutinibは、良好な安全性とともに、2ライン以上の全身的治療を受けたCLL/SLL、MCLおよびWM患者において、有望かつ持続的な奏功を示し、新たな治療の選択肢となることが期待されます



フェーズ1b試験において、良好な安全性、忍容性が確認されています

「Grade 3 以上の有害事象」の割合



- ✓ 前回(ASH2025)における発表データから、**新たに20人の患者が登録され、計58名**が登録されました。
- ✓ 用量漸増パートにおいて、**500mg BIDまで良好な忍容性が確認され、最大耐用量に到達しませんでした**
- ✓ 患者データの増加後も、治験薬に関連した心房細動や高血圧は認められておらず、また**Grade 3以上の有害事象（因果関係あり）の発生割合は10%**と、高い安全性が確認されています
- ✓ 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ており、既に複数の患者で投与期間が2年以上に達しています。(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※)
- ✓ 今後、症例数のさらなる拡大を通じて、安全性の検証を継続する予定です

※ Mato AR, et al., Haematologica. 2018;103(5):874-879から引用

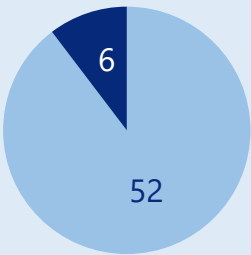
2026年5月8日時点



docirbrutinib

Grade 3 以上の有害事象※
(因果関係あり)

10%



	有害事象 (すべて) N (%)	有害事象 (因果関係あり) N (%)
すべての有害事象	51 (88)	37 (64)
Grade 3以上の有害事象	25 (43)	6 (10)
重篤な有害事象	14 (24)	2 (3)
有害事象による投与中断/減薬	21 (36)	3 (5)
有害事象による投与中止	1 (2)	1 (2)
有害事象による死亡	2 (3)	0 (0)

※ 当社の数値はフェーズ1b試験の途中結果（EHA2026発表データ）に基づく数値



Grade 3 の有害事象

重症または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない程度の副作用を指します

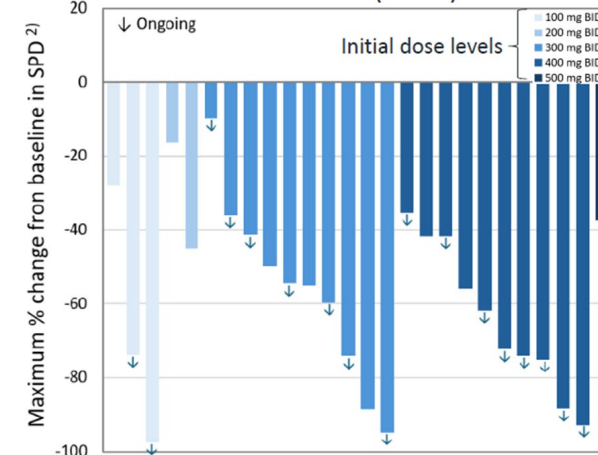
CLL/SLL 患者において、高い奏効率を示しています

- ✓ 400 mg BID群において、cBTK阻害薬とBCL-2阻害薬の両治療歴のある患者も86%の全奏効率を示し、またcBTK阻害薬耐性変異を有する患者においても、4名中3名が部分奏功を達成しています(C481x, L528WやPLCG2変異を併せ持つ症例が含まれています)
- ✓ 有効性評価対象患者は28名（ASH2025発表時+8名）となり、CLL/SLL患者の全奏効率は57%（ASH2025発表時40%）に向上し、400 mg BID群では73%（8/11名）となりました

● **pirtobrutinib前治療歴を有する患者（コホート3）**

- ✓ 全例（3名）投与継続中で、うち1名で安定を達成しております(2名は有効性の結果はまだ得られていません)
引き続き症例集積を継続しています

Waterfall Plot (n=26)¹⁾

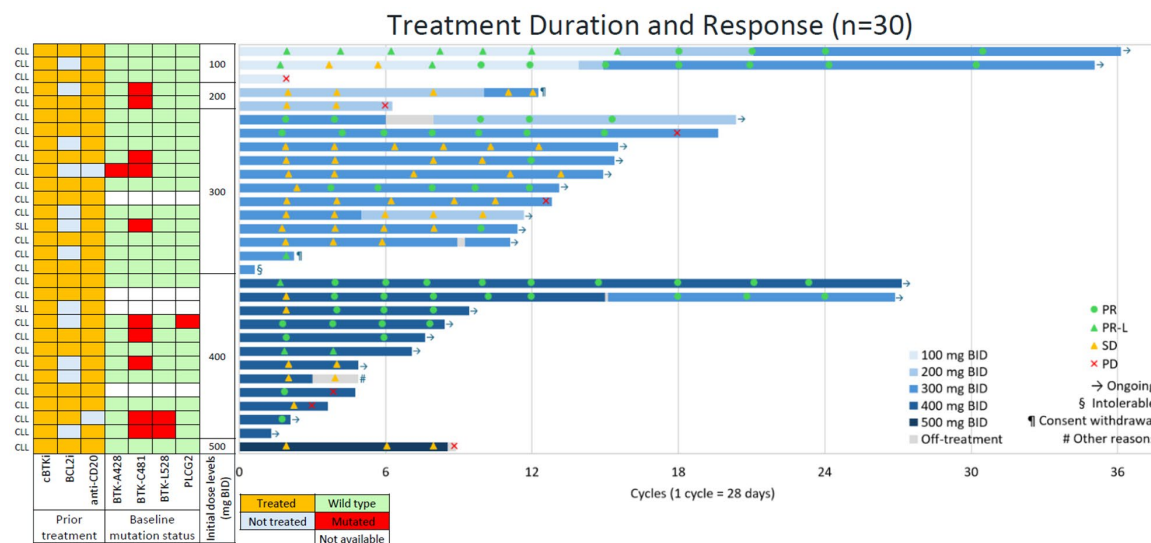


Baseline mutation status	BTk-A428	BTk-C481	BTk-L528	PLCG2
WT	WT	WT	WT	WT
Mutated	WT	Mutated	WT	WT
Not available	WT	WT	WT	WT

1) 4 pts are not included (no measurable lesions:

- 1) 4 pts are not included (no measurable lesions; early terminated before response assessment; not yet reached the first post-dose assessment point; data not yet available)
- 2) SPD: Sum of products of diameters

CLL及びSLLの有効性は、それぞれiwCLL基準及びLugano基準に従い評価した。



ベースライン及び投与後に1回以上の腫瘍評価が実施され、データが入手可能な患者

全奏効率 (ORR) PR、PR-LまたはCRを示した患者の割合を指します

cBTKi (covalent BTK inhibitor)	共有結合型BTK阻害剤
BCL2i (BCL2 inhibitor)	BCL2阻害剤

部分奏功（PR） リンパ節腫大、脾腫、リンパ球数などが50%以上減少しているが、完全奏功までには至らない状態

リンパ球増多を伴う部分奏功（PR-L） リンパ節腫大、脾腫などが50%以上減少しているが、リンパ球数の減少が基準に達していない状態

安定 (SD) 病勢が安定している状態

進行 (PD) 病勢が進行した状態



MCL、WM患者において、高い奏効率が認められています

● MCL、WMに著効を示しました

- ✓ MCLでは全奏効率100%（7名中、3名は完全奏功）、WMでは全奏効率及び主要奏効率100%（4名）を示しており、それぞれcBTK阻害薬前治療歴を有する患者においても奏効が確認されています

● NHL全体

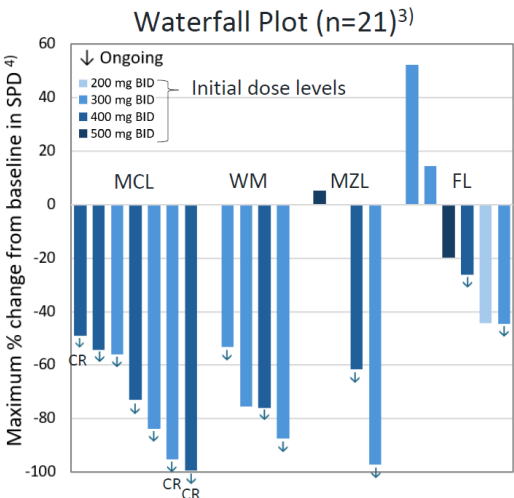
- ✓ NHL患者は25名(MCL9名、WM患者4名、MZL患者6名、FL患者6名)で、36%はcBTK阻害薬前治療歴を有していました有効性可能評価症例数は23名となりました。MZL及びFLの全奏効率はそれぞれ50%及び0%でした

● pirtobrutinib前治療歴を有する患者（コホート3）

- ✓ 2名中1名が安定、1名が進行であり、引き続き症例集積を継続しています

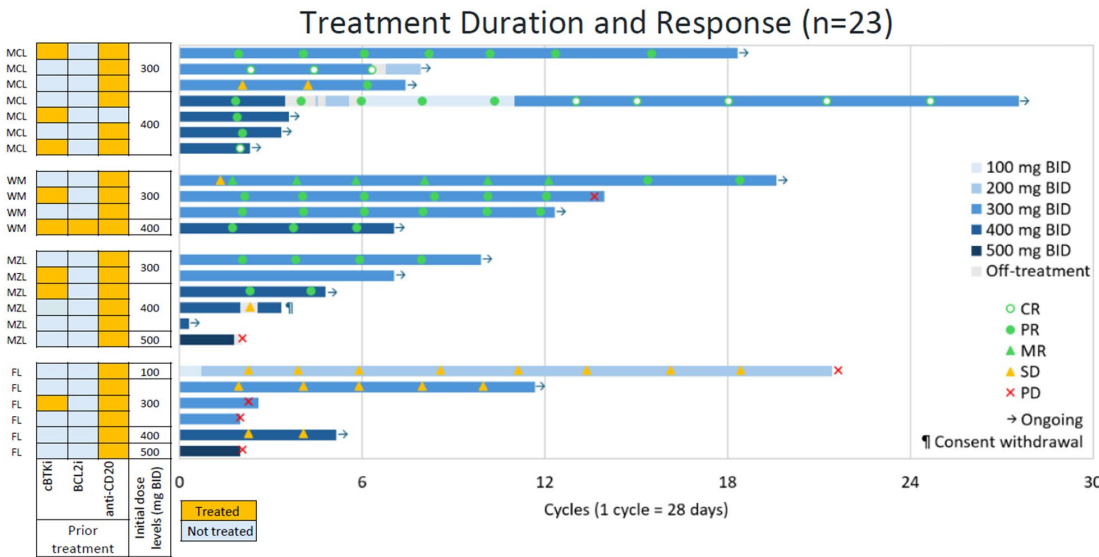
2026年5月8日時点

用量漸増パート及びコホート2に登録された
NHL患者の有効性評価



- 3) 2 pts are not included (not yet reached the first post-dose assessment point; data not yet available)
4) SPD: sum of products of diameters for MCL, MZL, and FL, serum IgM levels for WM

MCL、MZL及びFLの有効性はLugano基準、WMはIWWM6基準に基づいて評価された



用語説明

主要奏効率（WMの評価指標）

全奏効率は血中IgMレベルが25%以上低下したMinor Response（MR）以上を達成した割合を示しますが、主要奏効率は50%以上低下したPR以上を達成した患者の割合を表します

- MCL マントル細胞リンパ腫
WM フルデンシュトレーム・マクログロブリン血症
MZL 辺縁帯リンパ腫
FL 濾胞性リンパ腫



Blood Cancer Journal誌において、当社が開発中の次世代型BTK阻害剤 docirbrutinib に関する非臨床研究成果がオンライン先行公開されました。本研究は、**MDアンダーソンがんセンターとの共同研究として実施されたもので、docirbrutinibの薬理特性および血液悪性腫瘍に対する高い治療ポテンシャルを示す内容**となっています。

論文タイトル Docirbrutinib is a pan-mutant BTK inhibitor and inhibits B-cell receptor signaling in chronic lymphocytic leukemia cells in preclinical and early clinical investigations

著者

Natalia Timofeeva,¹ Breana Herrera,¹ Hitomi Fujiwara², Tokiko Asami², Hiroko Endo², Mariko Hatakeyama², Fumio Nakajima², Hiroshi Ohmoto², Yu Nishioka², Kyoko Miyamoto³, Akinori Arimura^{2,3}, Shady I. Tantawy^{1,4}, Javier Pinilla-Ibarz⁵, Catherine C. Coombs⁶, Nitin Jain^{7*}, Masaaki Sawa^{2*}, and Varsha Gandhi^{1,7*}

¹Department of Translational Molecular Pathology, The University of Texas MD Anderson Cancer Center, Houston, Texas; ²Carna Biosciences, Inc., Kobe, Japan; ³CarnaBio USA, Inc., South San Francisco, CA; ⁴Internal Medicine and Clinical Hematology Department, Suez Canal University, Egypt; ⁵Moffitt Cancer Center, Tampa; ⁶University of California, Irvine; ⁷Department of Leukemia, The University of Texas MD Anderson Cancer Center, Houston, Texas

*These authors contributed equally (本著者らは等しく貢献しております) .

Bruton's tyrosine kinase (BTK) 阻害剤は慢性リンパ性白血病 (CLL) の標準治療として広く使用されていますが、治療を継続していると、これら既存のBTK阻害剤が効かなくなることがあり、大きな課題となっています（薬剤耐性変異）。こうした薬剤耐性変異の課題に取り組むため、新たに発表された論文では、14種類の異なる耐性変異を有するBTKを作製し、非共有結合型BTK阻害剤であるdocirbrutinibの評価を行いました。Docirbrutinibは評価した全ての耐性変異体に効果を示したことから、ベストインクラスの薬剤として期待されることが裏付けされました。

Blood Cancer Journal は、Springer Nature が刊行する血液がん領域の国際的なオープンアクセス専門誌で、HematologyおよびOncology 分野で最上位区分である Q1 に位置づけられるハイインパクトジャーナルです。



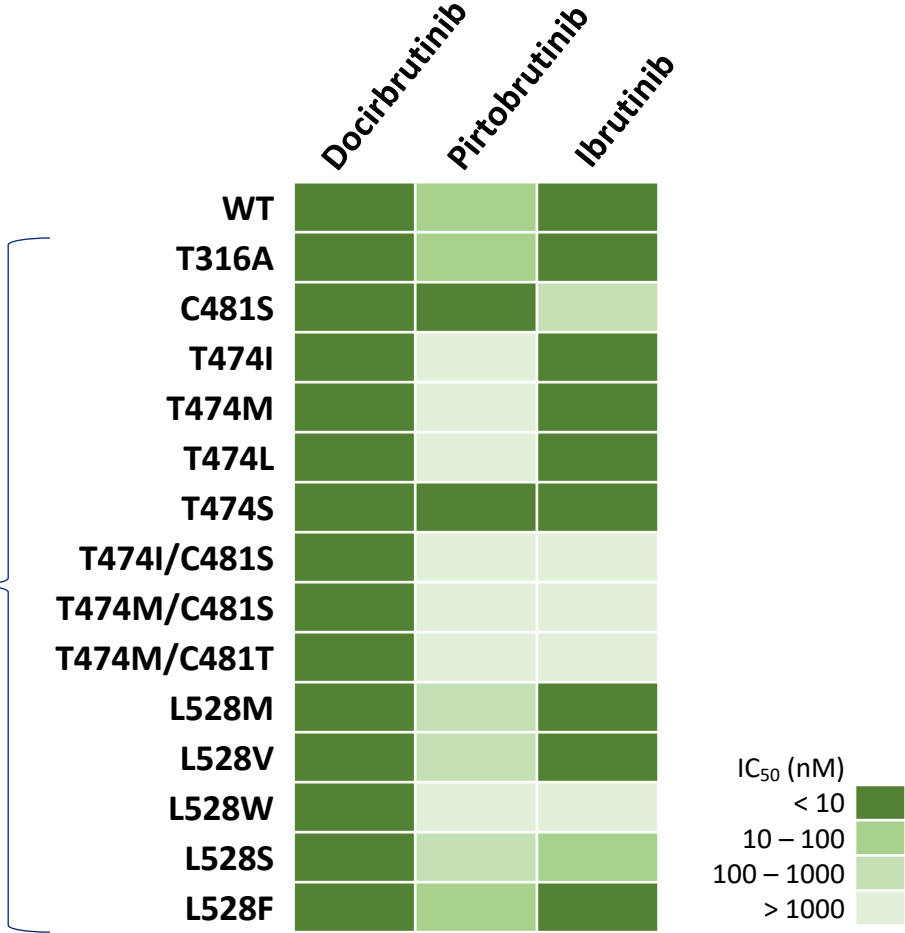
docirbrutinibは、既存BTK阻害剤に対して薬剤耐性となった患者に対し効果が期待されます



薬剤耐性変異型BTKに対する効果

- ✓ 14種類の耐性変異を持つBTKタンパクを作製し、docirbrutinibがこれらすべての耐性変異体を強力に阻害することを確認しました
- ✓ またBTK変異体を組み込んだDLBCL細胞株を作製し、docirbrutinibが細胞レベルでも有効であることを確認しました

耐性変異体



IC50

標的の活性を50%抑えるために必要な薬剤濃度で、低いほど強い作用を示します。



sofnobrutinib (AS-0871)



sofnobrutinib (AS-0871)

概要

新たな展開

膜性腎症への応用

競合薬との差別化

sofnobrutinibは2023年にフェーズ1試験を完了した後、現在は導出もしくは共同開発を目指しています。パートナーの確保に向け、競合するBTK阻害剤との差別化に重要な非臨床試験を行い、価値向上に努めています。



対象疾患と目指す製品像

- 免疫・炎症疾患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

- 重要な治療標的である慢性特発性蕁麻疹※¹ (CSU) の市場規模は主要7か国で22億ドルとされ、さらに著しい成長が予想されている
- 最近、BTK阻害薬の慢性腎疾患への応用が脚光を浴びており、複数のBTK阻害薬について膜性腎症を対象とする臨床試験が進められている。



※1慢性的な痒み、膨疹、血管性浮腫などの症状が6週間以上続く消耗性の皮膚疾患

開発状況およびイベント

2023年 ✓ フェーズ1試験を完了
(健康成人対象、オランダ)

2024年 ~ ✓ 重要な非臨床試験を実施
他のBTK阻害薬との差別化のため、重要な非臨床試験を実施。良好な結果を入手

導出もしくは共同開発を目指し活動中

がん領域ではないため、フェーズ2以降は導出もしくは共同開発による実施を目指す

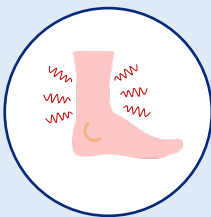
sofnobrutinibにおける次の目標

2026年 ● 導出もしくは共同開発先との提携
● フェーズ2試験の早期開始



膜性腎症（まくせいじんしょう）とは、腎臓のろ過装置である糸球体の壁に免疫の固まりがつき、壁が厚くなることで、尿にたくさんのタンパク質が出てしまう病気です。成人のネフローゼ症候群（むくみや多量のタンパク尿が出る状態）の原因として非常に多く、40代以降の中高年に目立ちます。

症状



ひどいむくみ



全身の倦怠感



蛋白尿

地域	推定患者数
米国	約3万人 ^{※1}
欧州 (独,仏,伊,西,英)	約2.5万人 ^{※1}
日本	約1.8万人 ^{※1}
中国	約140万人 ^{※2}

※1 データ出所：DelveInsight “Idiopathic Membranous Nephropathy - Epidemiology Forecast - 2034” 等に基づく当社推計。米国は抗原別IMN患者数、欧州5か国及び日本は主要7市場（米国、EU4か国、英国、日本）における地域別患者シェアに基づき算出。

※2 データ出所：天広実「招股説明書（申報稿）」。2023年の中国における中重度PMN患者数。

治療および課題

ステロイド及び免疫抑制剤が主な治療薬だが、効果は必ずしも十分ではない。膜性腎症が悪化すると、大量のタンパク尿や全身の強いむくみ（ネフローゼ症候群）が進行し、血液が固まりやすくなる血栓症を引き起こします。さらに症状が進むと腎機能が完全に失われる末期腎不全に至り、人工透析や腎移植が必要になります。**より有効な治療薬が求められています。**



sofnobrutinib (AS-0871)

概要

新たな展開

腎疾患への展開

競合薬との差別化

2026年6月にBTK阻害剤の大型のライセンス契約締結が発表されました

Everest Medicines が腎疾患治療用BTK阻害剤civorebrutinibをTraverse Therapeuticsに導出

Everest Medicines

中国拠点／香港上場

独占的グローバル権利をライセンス供与

契約一時金
1.12億ドル
(約160億円※)

マイルストーン支払い
最大10.3億ドル
(約1,500億円※)
※150円/ドルで換算

段階的ロイヤルティ
一桁台後半～二桁台%

Traverse Therapeutics

米国・腎疾患領域に強みを持つ

Civorbrutinib(EVER001)とは

経口投与可能・共有結合可逆的なBTK阻害剤。Everest社は複数の免疫介在性腎疾患（原発性膜性腎症(pMN)、免疫介在性巣状分節性糸球体硬化症(FSGS)、微小変化型ネフローゼ症候群(MCD)、IgA腎症）を対象とした臨床試験を中国で実施中



当社はこれまで重要な治療標的として皮膚疾患領域を想定するとともに、腎疾患領域への応用可能性にも着目し、関連データの評価及び導出活動を推進してまいりました。その結果、複数の企業から腎疾患領域における開発に関心が寄せられております。このような中、上記ライセンス契約の公表によりBTK阻害剤の腎疾患領域における注目度が一層高まったことを追い風として、2026年6月に米国で開催されたBIO International Convention 2026では、腎疾患領域に注力する多数の企業との面談を実現しました。今後は、従来から協議を進めている企業に加え、新たに接点を持った企業とも速やかに協議を進め、sofnobrutinibの価値を最大限に引き出すことのできる企業への導出を目指してまいります。



sofnobrutinib (AS-0871)

概要

新たな展開

腎疾患への展開

競合薬との差別化

なぜpMN（原発性膜性腎症）にSofnobrutinibなのか

-  **pMN（原発性膜性腎症）に対する強力な生物学的根拠**
 - ❖ BTKはpMNの病態に関与するB細胞活性化と自己抗体産生において中心的な役割を果たす
 - ❖ 選択的・非共有結合型のBTK阻害は、全身毒性を抑えながら疾患を駆動する免疫経路を調節する合理的なアプローチである
-  **説得力のある非臨床試験データ**
 - ❖ ループス腎炎モデルにおける自己抗体介在性の腎障害を抑制
-  **高い安全性ポテンシャルを持つ差別化されたプロファイル**
 - ❖ 経口・非共有結合型のBTK阻害剤であり、慢性腎臓病および長期投与に適する
 - ❖ 慢性療法に向けた高い選択性と良好な安全性プロファイルの実現を目指して設計

SofnobrutinibはpMNに対する**ベスト・イン・クラス**の治療選択肢となる可能性を持っている



sofnobrutinib (AS-0871)

概要

特徴

競合薬との差別化

競合薬との差別化

原発性膜性腎症（pMN）を対象としたBTK阻害薬の臨床試験の途中経過：
高頻度の有害事象の発現や安全性上の課題が報告・示唆されている

薬剤	zanubrutinib ※1	civorebrutinib (EVER001) ※2
開発会社	BeOne	Everest
阻害剤のタイプ	共有結合型	共有結合型
臨床段階	P2/3	P1b/2a
効果	PLA2R抗体：減少 タンパク尿：減少	PLA2R抗体：減少 タンパク尿：減少
安全性	治療下に発現した有害事象（TEAE）：87% (26/30 pts) 重症な治療下に発現した有害事象（TEAE）：13% (4/30 pts) 重症な治験関連有害事象（TRAE）：3% (1/30 pts)	治療関連有害事象（TRAE）：58% (18/31) 重症な治療関連有害事象（TRAE）：13% (4/31)



Sofnobrutinibは優れた安全性プロファイルにより、pMNに対する**ベスト・イン・クラス**の経口療法として位置づけられる可能性が高い

※1 データ出所：American Society of Nephrology Kidney Week 2024
※2 データ出所：62nd Congress of the European Renal Association (June 2025)



monzosertib (AS-0141)



monzosertib (AS-0141)

概要

特徴

現状

高齢者・Unfit患者における急性骨髄性白血病（AML）では、AZA/VEN*を含む標準治療が用いられる一方で、依然として大きなアンメット・メディカル・ニーズが存在します。monzosertibは、この患者集団に対する新たな治療選択肢を目指しています。

* AZA/VEN : アザシチジン（AZA、DNMT阻害薬）とベネトクラクス（VEN、BCL-2阻害薬）を組み合わせたAMLの標準治療の一つ。



対象疾患と目指す製品像

- **AMLを主対象として開発中の低分子経口薬**
(将来的には固形がん・血液がんへの適応拡大を目指すCDC7阻害剤)

想定される市場規模や競合薬

- 現在、承認されているCDC7阻害剤はなく、多くの開発品が臨床初期段階で開発中止となっています。monzosertibは国内フェーズ1試験を完了しており、**ファースト・イン・クラスCDC7阻害薬**を目指しています。
- フェーズ1b試験（医師主導治験）の対象疾患である急性骨髄性白血病（AML）治療薬の市場規模は38億ドルに達しており、今後も継続的な拡大が見込まれています
- 高齢者・Unfit患者はAML患者の多くを占める主要な患者集団です。monzosertibは、まずこの患者集団を対象として開発を進め、将来的には幅広いAML患者への展開を目指しています。

AML治療薬
の市場規模

38億ドル^{※1}
(約5,700億円^{※2})

※2 150円/ドルで換算

開発状況およびイベント

- 2021年 ✓ 日本国内においてフェーズ1試験 開始
- 2025年 ✓ アメリカ癌学会 (AACR) 年次総会にて非臨床研究における3剤併用による優れた抗腫瘍効果について発表
- ✓ MDアンダーソンがんセンターとAML医師主導治験に関するMOU締結
- 2026年 ✓ 日本フェーズ1試験 終了
- ✓ **FDA オーファンドラッグ指定取得 (AML)**

monzosertibにおける次の目標

- 2026年 ● MDアンダーソンがんセンターとのCTA締結
- AML医師主導治験の患者登録 開始
- 2027年 ● AML医師主導治験の併用コホート 開始



monzosertib (AS-0141)

概要

特徴

現状

monzosertibは、DNA複製開始を制御するCDC7キナーゼを選択的に阻害する経口低分子化合物です。
CDC7阻害によりDNA複製ストレスを誘導し、DNA損傷の蓄積を介してがん細胞のアポトーシスを促進します。
血液がんに対する高い抗腫瘍活性に加え、DNMT阻害薬およびBCL-2阻害薬との3剤併用により優れた抗腫瘍効果を示しました（AACR2025）。

特徴

CDC7阻害による新たな治療アプローチと、AMLにおけるAZA/VEN*耐性克服および治療効果向上の可能性

* AZA/VEN : アザシチジン（AZA、DNMT阻害薬）とベネトクラクス（VEN、BCL-2阻害薬）を組み合わせたAMLの標準治療の一つ。



抗腫瘍メカニズム

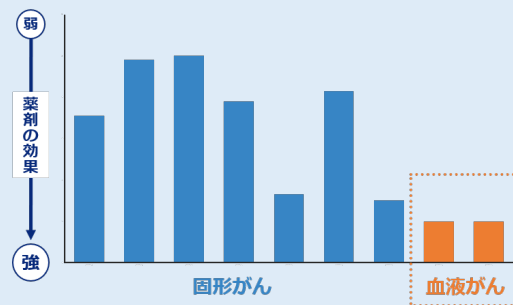
- CDC7はDNA複製開始に重要なキナーゼ
- monzosertibはCDC7を選択的に阻害
- DNA複製ストレスを誘導
- DNA損傷の蓄積によりがん細胞のアポトーシスを誘導



monzosertib

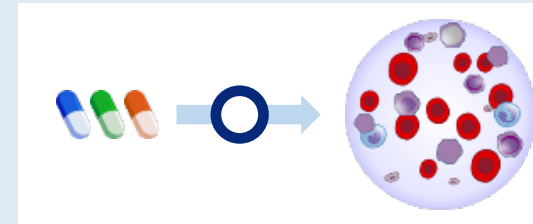
研究成果①

非臨床試験において、**血液がんに対して高い抗腫瘍効果を示す**ことを確認



monzosertib (AS-0141) の各種がん35細胞株への増殖抑制効果
(各バーは1～7種類の細胞株の平均値)

研究成果②



monzosertib + DNMT阻害薬 + BCL-2阻害薬の3剤併用療法

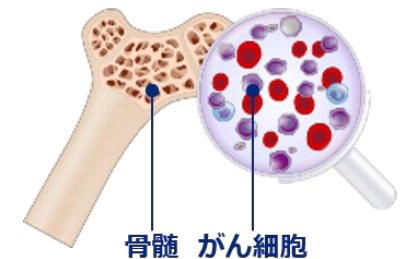
monzosertib (AS-0141) を含む3剤併用療法は、がん細胞の細胞死（アポトーシス）を誘導し、**優れた抗腫瘍効果**が示された※1

※1 ヒト由来AML細胞およびヒトAML細胞株移植マウスモデル（AACR2025にて発表）



急性骨髄性白血病 (AML) とは

- ✓ 血液がんの一種で、悪性度が高く、治療困難な血液がん
- ✓ 世界で最も多い急性白血病で、2023年におけるAML治療薬の市場規模は5,700億円（38億ドル、150円換算）を超えている※2



骨髄 がん細胞

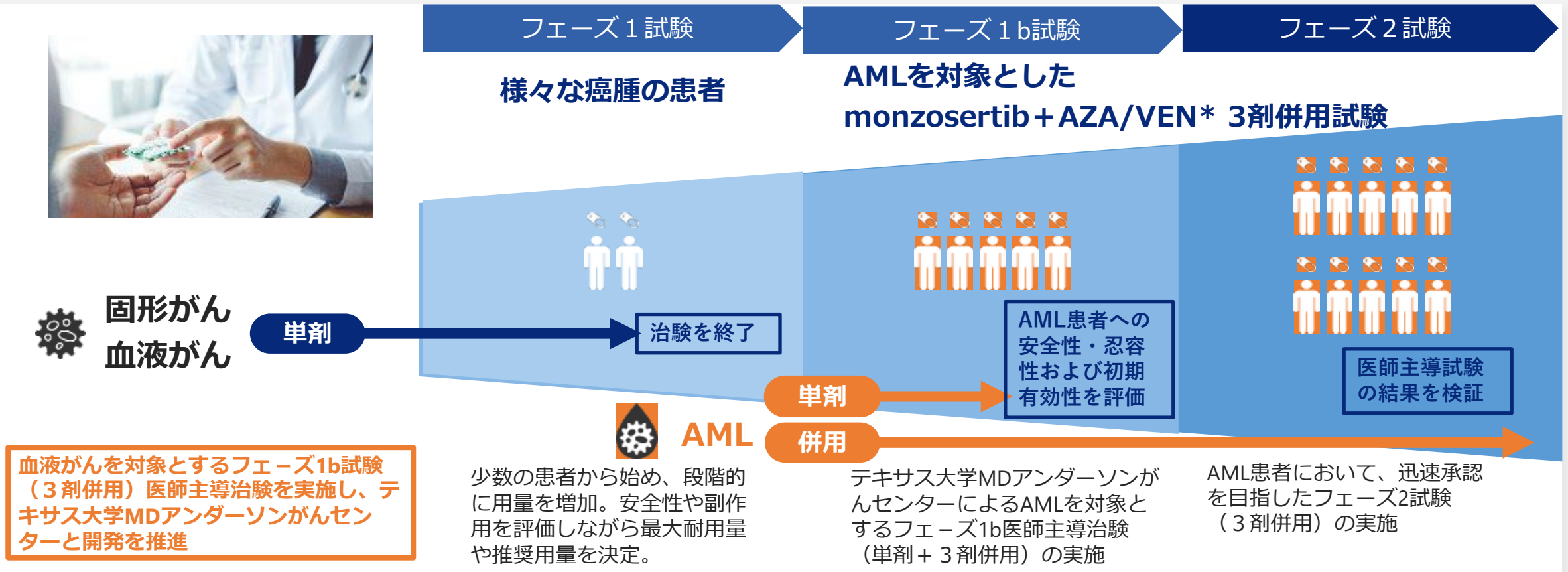
monzosertib (AS-0141)

概要

特徴

現状

monzosertibは2021年よりフェーズ1試験を国内で実施しており、安全性及び有効性の評価を進めてきました。2025年AACR年次総会で発表したAML非臨床データが高く評価され、テキサス大学MDアンダーソンがんセンターより医師主導治験の提案を受けました。現在、AML患者を対象とした医師主導試験の開始準備を進めています。





資金調達に関する補足説明 (9/28公表)



本資金調達について



docirbrutinib (AS-1763) 及びmonzosertib (AS-0141) の臨床開発を着実に推進し、パイプライン価値の向上と適切な資金水準の維持を図るため、本資金調達の実施を決議いたしました。

本資金調達は、固定転換価額型の転換社債型新株予約権付社債及び新株式の発行により実施いたします。

CASH-IN

新株予約権付社債発行プログラム

調達資金の額
払込金額の総額

561百万円

割当予定先	Cantor Fitzgerald Europe
償還期日	各回の払込期日から3年
利率	年率 1.0%

本調達の特徴・効果

即時の希薄化を軽減しつつ
短期間でまとまった金額を調達

- ✓ 新株予約権の活用及び3回にわたる発行により、大規模な希薄化が一時に生じることを回避
- ✓ 希薄化のタイミングを分散化出来る一方、社債部分を通じてまとまった資金を発行時に調達可能

転換価額の固定による
過度な株価インパクトの制限

- ✓ 価額修正条項は無し

	割当決議日	払込期日	払込金額の総額
第4回新株予約権付社債第三者割当	2026年9月28日	2026年10月14日	187,200,000円
第5回新株予約権付社債第三者割当	2026年10月19日(予定)	2026年11月4日(予定)	187,200,000円
第6回新株予約権付社債第三者割当	2026年11月9日(予定)	2026年11月25日(予定)	187,200,000円

CASH-IN

新株式の発行

調達資金の額
払込金額の総額

850百万円

割当予定先	五味 大輔 氏	kaya holdings 株式会社
払込金額	700百万円	150百万円

本調達の経緯

- ✓ 五味大輔氏※との継続的な対話の中で、当社事業への理解及び支援意向を確認
- ✓ 当社を長年支援いただいている上位株主より、kaya holdings株式会社の紹介を受領
- ✓ 両者との協議を経て、本新株式第三者割当による引受意向を確認
- ✓ 必要資金の一括かつ確実な調達が可能と判断

本調達の特徴・効果

確実な資金調達

- ✓ 払込時点において総額850百万円の資金を一括して確実に調達することが可能

事業活動に直接充当
可能な資金の確保

- ✓ 当社の臨床開発費用、前臨床段階のパイプラインの開発費用、開発化合物の創製・研究費用等及び運転資金に直接充当が可能

※ 五味大輔氏が2026年1月5日現在において当社普通株式985,000株を保有している旨の大量保有報告書（変更報告書）が、2026年1月13日付で提出されています。



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