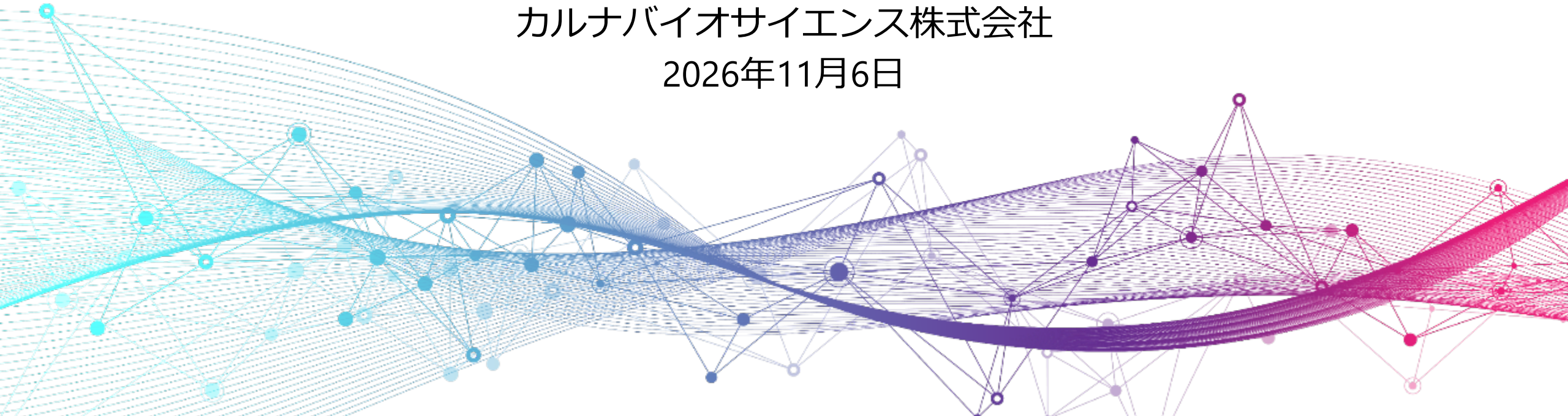
2026年第3四半期
決算説明資料



カルナバイオサイエンス株式会社

2026年11月6日

エグゼクティブ・サマリー

パイプラインの状況

docirbrutinib (AS-1763)

フェーズ1b試験を実施中

2026年12月アメリカ血液学会（ASH2026）において、臨床データを発表予定

- ✓ BTK阻害剤docirbrutinib（AS-1763）、sofnobrutinib (AS-0871)等の製造中間体に係る日本における特許査定（8月）

monzosertib (AS-0141)

フェーズ1b試験（単剤及び3剤併用試験*、医師主導治験）の実施に向けて準備中

テキサス大学MDアンダーソンがんセンターとClinical Trial Agreementを締結（10月）

- ✓ 米国FDAより**オーファンドラッグ指定（ODD）**を取得（7月）
- ✓ monzosertibの血液がん治療用途に係る欧州における特許付与予定通知受領（10月）

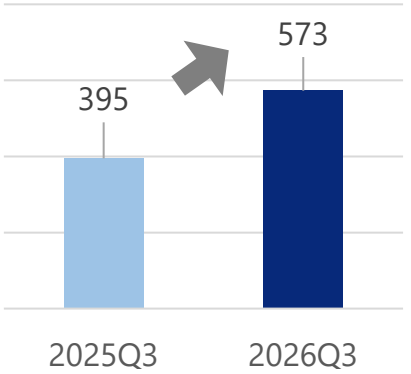
* monzosertib、アザシチジン（AZA、DNMT阻害薬）およびベネトクラクス（VEN、BCL-2阻害薬）の3剤併用試験

創薬支援事業売上

前年同期比45%増

創薬支援事業の売上高は大幅に伸長しました

（単位：百万円）



業績数値

（百万円）	2026年3Q 実績値	2026年通期 計画	2026年通期 進捗率
営業損失	1,532	2,028	75.5%
研究開発費	1,461	1,950	75.0%

通期計画に対して想定の範囲内で、研究開発費の消化が進捗しています

目次

1 事業概要

2 パイプラインの現況

3 2026年第3四半期決算

4 補足資料

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（P.29参照）
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（P.30参照）

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 (P.12参照)

コーポレートストーリー

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

2003 2010 2019 2026



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





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

探索・研究	前臨床試験	臨床試験	承認・上市	販売



研究開発に関する
人件費や実験等の費用



臨床試験の開始に必要な試験
および準備のため費用が増加



臨床試験のための費用が大きく拡大



薬の販売により
投資回収
フェーズへ

収穫期

収益

時間

投資

一般に10年超の期間と数十～数百億円の研究開発費

**研究開発の開始から
投資を回収するまでは
10年以上を要する**

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	Phase 2	Phase 3
安全性の評価	効果の評価
(小規模)	効果の評価
(大規模)

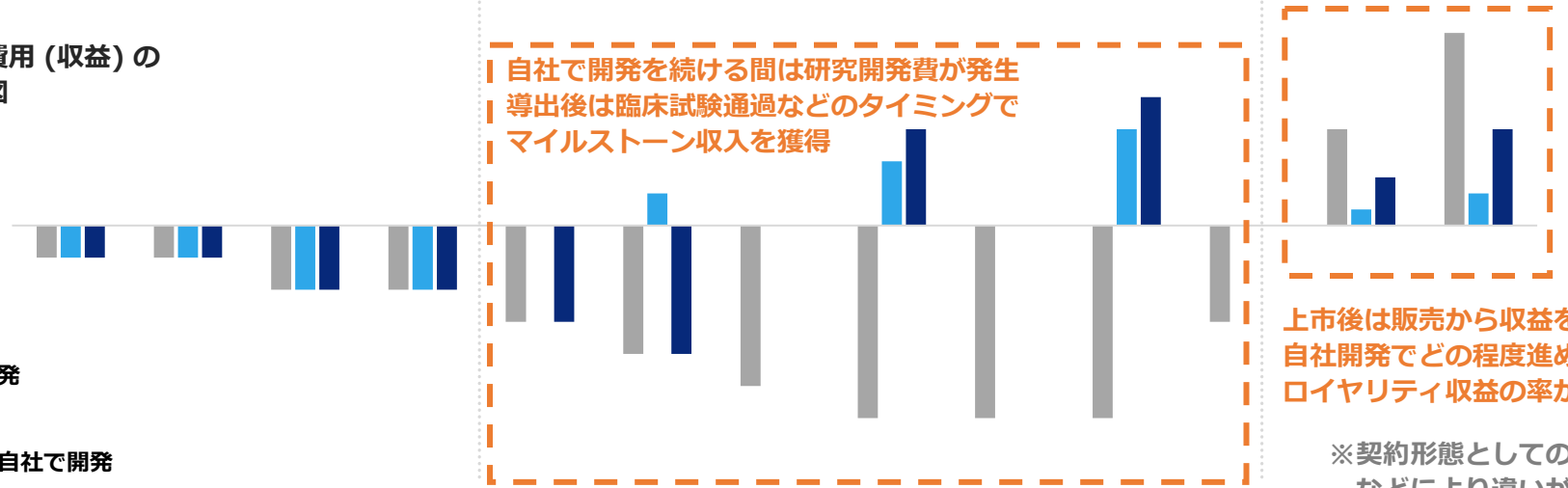
新薬として発売され、治療のために患者に処方されます

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。

	探索・研究	臨床試験	上市後	研究開発費	収益
完全自社開発	自社開発		収益 ¥ 収益 ¥	大	大
早期に導出	自社開発	導出 マイルストーン ¥ マイルストーン ¥ マイルストーン ¥	ロイヤリティ ¥ ロイヤリティ ¥	小	小
可能な限り自社で開発	自社開発	導出 マイルストーン ¥ マイルストーン ¥	ロイヤリティ ¥ ロイヤリティ ¥	中	中

研究開発に関する費用 (収益) の発生の違いの模式図



※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

※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

創薬ベンチャーの企業価値

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

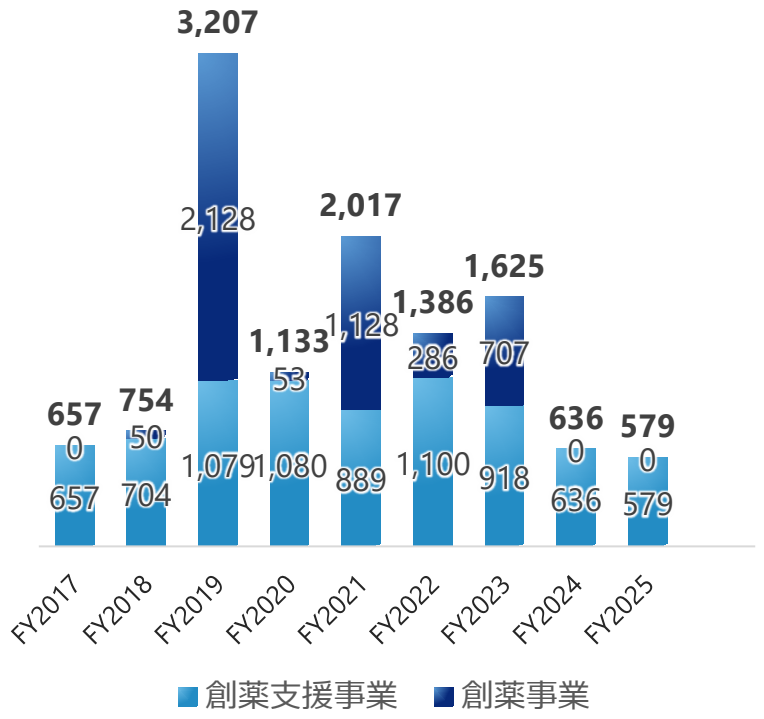
- ✓革新的なキナーゼ阻害薬等の低分子医薬品の研究開発に取り組んでいます。
- ✓がん、免疫・炎症疾患を重点領域として注力しています。
- ✓がん領域は最大フェーズ２試験まで、その他はフェーズ１試験もしくは前臨床試験まで実施し、早期に導出することを基本方針としています。

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

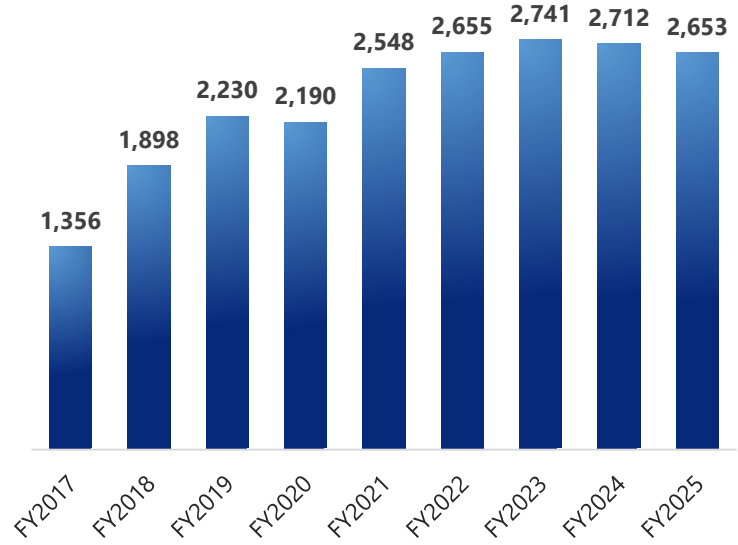
(百万円)



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

自社開発パイプラインの概要

当社が現在自社で開発を進めているのは、docirbrutinib, sofnobrutinib, monzosertibの3化合物です。

	化合物	対象疾患	現在の目標	現状及び開発フェーズ・見通し
1	 **docirbrutinib (AS-1763)**	血液がん	パートナーの確保及び フェーズ2試験の早期開始	フェーズ1b試験（患者対象、米国）を実施中 目標：パートナーの確保及びフェーズ2試験の早期開始 2026年
2	 **sofnobrutinib (AS-0871)**	免疫・炎症疾患	パートナーの確保及び フェーズ2試験の早期開始	フェーズ1試験（健康成人対象、オランダ）を完了 目標：パートナーの確保及びフェーズ2試験の早期開始 2026年
3	 **monzosertib (AS-0141)**	固形がん 血液がん	フェーズ1b試験（医師主導治験）の開始	フェーズ1b試験（患者対象、米国）を準備中 目標：フェーズ1b試験（医師主導治験）の開始 2026年

前臨床 → フェーズ1 → フェーズ2 → フェーズ3 → 上市

現在の臨床試験等の状況

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

アップデート

- ✓ **2026年12月アメリカ血液学会（ASH2026）において、臨床データを発表予定**

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）**

  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

  投与開始に向けて準備中

  テキサス大学MDアンダーソンがんセンターとClinical Trial Agreementを締結（10月）
- ✓ **FDAオーファンドラッグ指定（ODD）を取得（7月）**

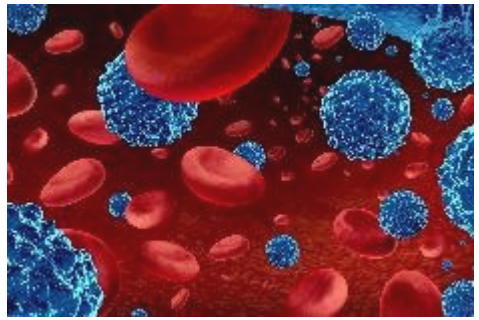
臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinib (AS-1763)

概 要 | 特 徴 | 競合薬との差別化 | 市場動向

docirbrutinibは、CLL/SLL等の血液がんの治療薬として、開発を進めています。

これまでの試験結果から、既存のBTK阻害剤に薬剤耐性ができた患者にも効果が期待されることが示唆されています
現在はフェーズ1b試験を着実にすすめ、フェーズ2試験の早期開始を目指しています



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)
- 既存のBTK阻害薬が効かなくなった患者にも有効な薬剤
- 既存のBTK阻害薬が副作用により投与できなくなった患者にも投与可能な薬剤

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
- 競合薬であるibrutinib (米AbbVie、Johnson＆Johnson)の2025年における売上高は56億ドル
- 競合薬であるacalabrutinib (英AstraZeneca)の2025年における売上高は35億ドル



※150円/ドルで換算
※データ出所: Clarivate

開発状況およびイベント

2021年 ✓ **健常人を対象としたフェーズ1試験を開始（完了）(オランダ)**
全ての用量で安全性、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

2023年 ✓ **患者を対象としたフェーズ1b試験を開始（実施中）（米国）**
フェーズ2試験における推奨用量の決定や最大耐用量の決定が目的

2026年 ✓ **欧州血液学会にて発表**
docirbrutinibのフェーズ1b臨床試験における優れた抗腫瘍効果について発表

docirbrutinibにおける次の目標

2026年 **パートナーの確保及びフェーズ2試験の早期開始**

臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

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。

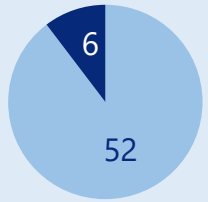
特徴 01 高い安全性

docirbrutinib

Grade 3 以上の有害事象※1
（因果関係あり）

10%

2026年5月8日時点

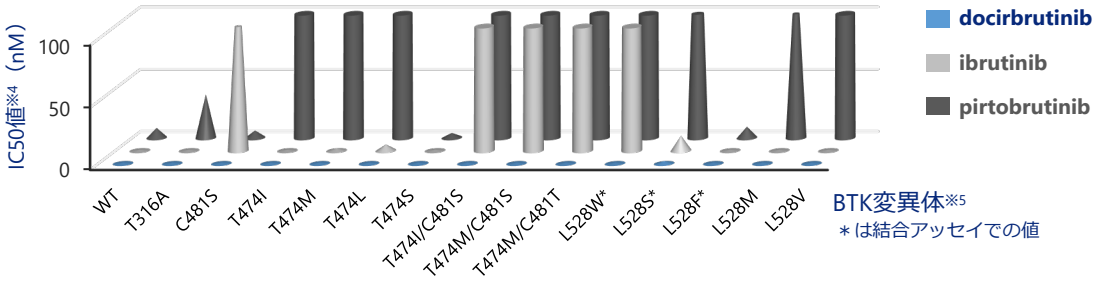


Grade 3 の有害事象
重症または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない程度の副作用を指します

- 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※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が大きく変化するのに対して、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（EHA2026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

臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinib (AS-1763)

概 要 | 特 徴 | 競合薬との差別化 | 市場動向

既存のCLL治療には、薬剤耐性、治療継続を妨げる副作用、長期治療に伴う負担など、依然として大きな課題が残されています。
docirbrutinibは、有効性・安全性・経済性の3つの側面から、これらの未充足ニーズへの貢献が期待されます。

CLL既存治療の限界・未充足ニーズ		docirbrutinibの可能性
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	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
深い奏功※の維持	● 深い奏功※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	経口既存治療薬とのコンビネーションのみで深い奏功※の達成、維持の可能性
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)※への到達を阻害	高齢者でも治療を妨げない高度な安全性プロファイル
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	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

用語説明

深い奏功

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）を組み合わせて治療す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。

臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinibが実現し得る次世代のCLL治療（３本の柱）

1 未充足領域
セカンドライン治療※2 / 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“

2 中期・拡大市場
ファーストライン治療※1 /セカンドライン治療※2

“深い奏功×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

3 長期・最大市場
ファーストライン治療※1

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 BTKi阻害薬



上市後の投薬実績や新たな治験を通じて拡大

用語説明

※1 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

※2 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

臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinib (AS-1763)

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 (MK-1026, ARQ-531)	非共有結合型 BTK阻害剤	ある程度有効	有り	Merck (ArQule)	P3
bexobrutideg (NX-5948)	BTK分解剤	各種変異体に有効	比較的 少ない	Roche (Nurix)	P3
catadegbrutinib (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.15参照**	**Carna**	**P1**

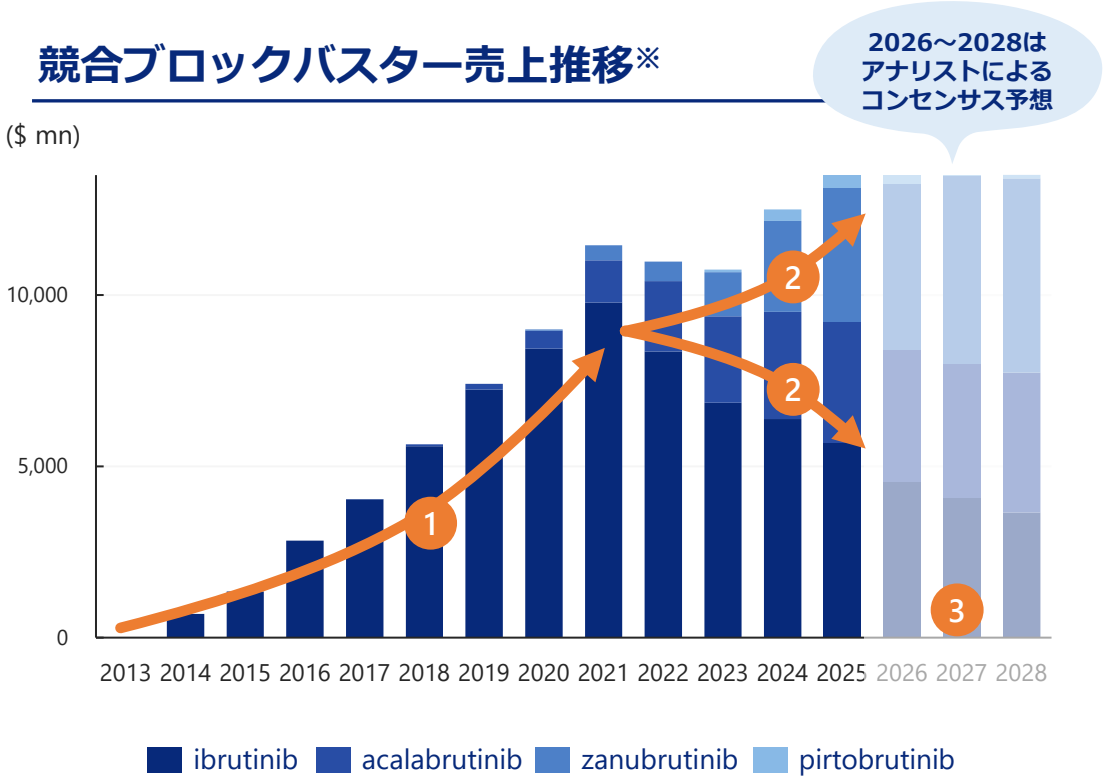
※1 薬剤耐性とは：治療中に薬剤が効かなくなる状態をいい、分子標的薬においては、一つのメカニズムとして、薬剤のターゲットであるタンパク質に何らかの変異（薬剤耐性変異）が生じることが知られている

臨床開発段階のパイプライン①：docirbrutinib (AS-1763)

docirbrutinib (AS-1763)

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

臨床開発段階のパイプライン②：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ヶ国およびインドで26.7億ドルとされ、さらに著しい成長が予想されている（P.51参照）
- 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（P.23、52参照）を対象とする臨床試験が進められている。



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**

※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

臨床開発段階のパイプライン②：sofnobrutinib (AS-0871)

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Travere 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	マイルストン支払い	段階的ロイヤルティ
1.12億 ドル （約160億円※）	最大10.3億ドル （約1,500億円※）	一桁台後半～二桁台%

※150円/ドルで換算

Travere Therapeutics
米国・腎疾患領域に強みを持つ

Civorebrutinib(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)

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

臨床開発段階のパイプライン②：sofnobrutinib (AS-0871)

sofnobrutinib (AS-0871)

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)

臨床開発段階のパイプライン③：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**
  (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（2023年）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）
	MDアンダーソンがんセンターとのCTA締結

monzosertibにおける次の目標

2026年	AML医師主導治験の患者への投与開始
2027年～2028年	AML医師主導治験の併用コホート 開始

※1 データ出所: BCCResearch「Global Acute Myeloid Leukemia (AML) Treatment Market」https://www.bccresearch.com/market-research/pharmaceuticals/acute-myeloid-leukemia-market.html

臨床開発段階のパイプライン③：monzosertib (AS-0141)

monzosertib (AS-0141)

概要 | 特徴 | 現状

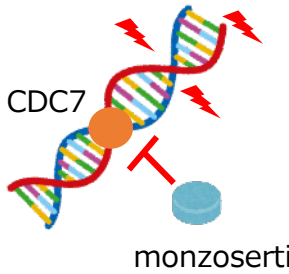
monzosertibは、DNA複製開始を制御するCDC7キナーゼを選択的に阻害する経口低分子化合物です。
CDC7阻害によりDNA複製ストレスを誘導し、DNA損傷の蓄積を介してがん細胞のアポトーシスを促進します。
血液がんに対する高い抗腫瘍活性に加え、DNMT阻害薬およびBCL-2阻害薬との3剤併用により優れた抗腫瘍効果を示しました（AACR2025）。

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。

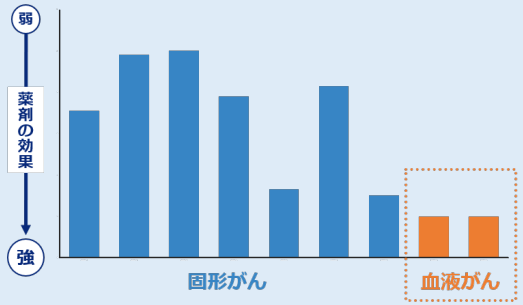
抗腫瘍メカニズム

- 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



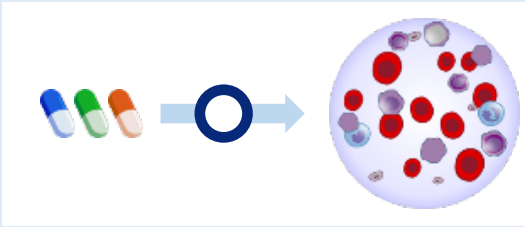
研究成果①

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

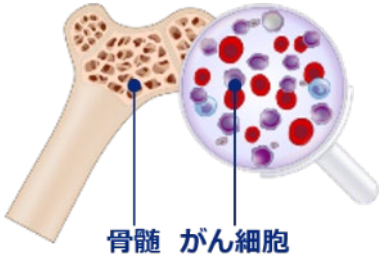


monzosertib＋DNMT阻害薬＋BCL-2阻害薬の
3剤併用療法

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



※2　データ出所: BCCResearch「Global Acute Myeloid Leukemia (AML) Treatment Market」https://www.bccresearch.com/market-research/pharmaceuticals/acute-myeloid-leukemia-market.html

臨床開発段階のパイプライン③：monzosertib (AS-0141)

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投与開始に向けて準備を進めています。



フェーズ１試験 | フェーズ１b試験 | フェーズ２試験

様々な癌腫の患者

AMLを対象とした
monzosertib＋AZA/VEN＊ 3剤併用試験

固形がん
血液がん

単剤

治験を終了

AML患者への安全性・忍容性および初期有効性を評価

医師主導試験の結果を検証

単剤

併用

AML

血液がんを対象とするフェーズ1b試験（３剤併用）医師主導治験を実施し、テキサス大学MDアンダーソンがんセンターと開発を推進

少数の患者から始め、段階的に用量を増加。安全性や副作用を評価しながら最大耐用量や推奨用量を決定。

テキサス大学MDアンダーソンがんセンターによるAMLを対象とするフェーズ1b医師主導治験（単剤＋３剤併用）の実施

AML患者において、迅速承認を目指したフェーズ2試験（３剤併用）の実施

＊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。

導出済み
パイプラインの現況

導出済みパイプラインの概要

Gilead Sciences, Inc.（ギリアド社）にがん・免疫療法に関するDGKα阻害剤の創薬プログラムを導出しています。
住友ファーマとの共同研究は現在、開発候補化合物の選定中です。

	開発パートナー・対象疾患	進捗状況	契約概要	契約一時金	マイルストーン
1	 **DGKα阻害剤（がん・免疫療法）** GILEAD	※P.29をご参照下さい	● 2019年6月契約締結 ● 対象地域は全世界 ● ロイヤリティは上市後の売上高に応じた一定の料率	20M $（約21億円*）	総額 450M $（約675億円*） うち受領済み 計15M $（約18億円*） マイルストーン２回達成
2	 **住友ファーマとの共同研究（精神神経疾患）** Sumitomo Pharma	開発候補化合物を選定中	● 2018年3月契約締結 ● 対象地域は全世界 ● ロイヤリティは上市後の売上高に応じた一定の料率	80百万円 契約一時金＋研究マイルストーン	総額 約106億円

*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150円/ドルで換算

導出済みパイプライン①：DGKα阻害剤

DGKα阻害剤

開発パートナー　Gilead Sciences, Inc.（ギリアド社）

2019年6月、ギリアド社 にDGKα阻害剤に関する創薬プログラムをライセンスアウト。
これまでに、契約一時金およびマイルストーンを合計で3,500万ドル（約40億円）を受領。

ギリアド社 について

- ✓米国カリフォルニア州フォスターシティに本社を置き、**世界35か国以上で事業を行う世界有数のバイオ医薬品企業**
- ✓C型肝炎やHIV、インフルエンザなどについて画期的な新薬を創出してきた抗ウイルス薬開発のパイオニア
- ✓近年はがん領域への取り組みを本格化

契約金額

- 契約一時金：**20百万ドル（約21億円）**
- 開発状況や上市などに応じたマイルストーン：**最大450百万ドル（675億円）**

ロイヤリティ

- 上市後の売上高に応じた一定比率のロイヤリティ

ライセンス範囲の概要

化合物	本プログラムから創出された全ての化合物
対象疾患	がん (免疫療法)
地域	全世界

開発の状況およびイベント

2019年6月　**Gilead Sciences, Inc.（ギリアド社） にライセンスアウト**
開発・商業化にかかる全世界における独占的な権利を供与

2024年12月　**本創薬プログラムから見出されたGS-9911について、固形がん患者を対象としたフェーズ１試験を開始**

（現在の状況）
2025年8月に、ギリアド社におけるポートフォリオの優先付けに基づく決定により、フェーズ1試験への新規患者登録が中止されました。一方で、本ライセンス契約は、引き続き有効に存続しており、本プロジェクトチームが同プログラムの研究開発を引き続き主導しているとの連絡を受けております。本創薬プログラムの今後の方針に関して、開示すべき新たな情報が判明した際には、速やかにお知らせいたします。

導出済みパイプライン②：住友ファーマとの共同研究

住友ファーマとの共同研究

開発パートナー　住友ファーマ株式会社

2018年3月、住友ファーマ株式会社と精神神経疾患領域における新規キナーゼ阻害剤の共同研究に関する契約を締結。現在は開発候補化合物を選定中。

契約金額

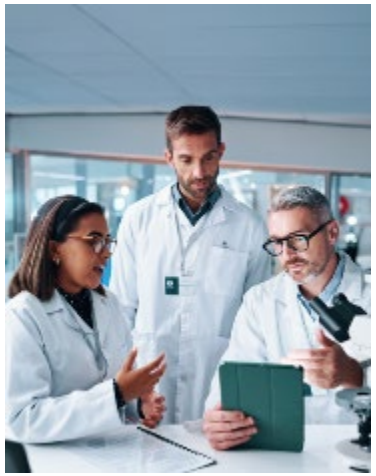
- 契約一時金：**80百万円**
  （契約一時金＋研究マイルストーン）
- 開発状況や上市などに応じたマイルストーン：**最大106億円**

ロイヤリティ

- 上市後の売上高に応じた一定比率のロイヤリティ

開発品の概要

モダリティ※1	低分子経口薬
対象疾患	精神神経疾患
ライセンス地域	全世界



開発の状況およびイベント

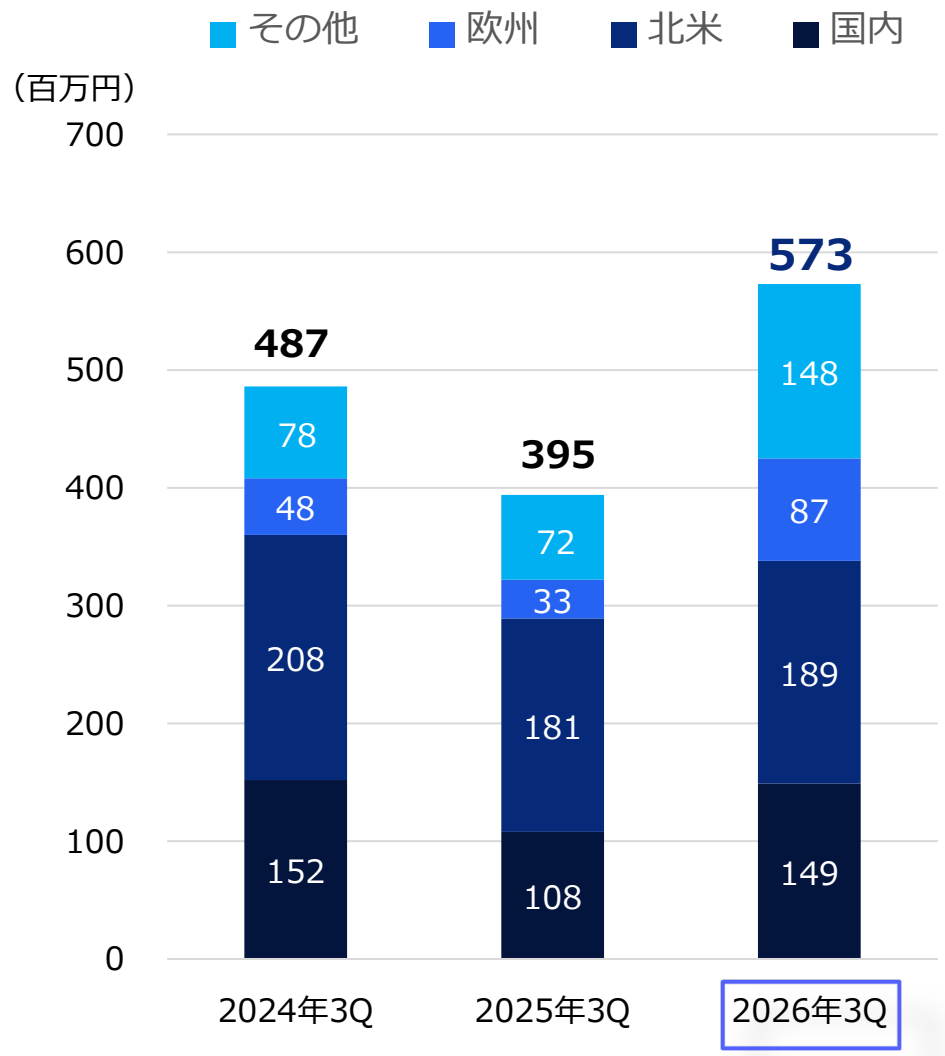
- 2018年3月　住友ファーマ株式会社と共同研究に関する契約締結
- 2021年12月　共同研究期間を2025年3月27日まで延長
- 2025年3月　共同研究期間を2027年3月27日まで再延長
  開発候補化合物が見出されており、当該化合物のさらなる評価を行うため
- 2026年現在　開発候補化合物を選定中

※1 低分子薬、抗体医薬、核酸医薬などといった、治療手段の種別のことをモダリティと言います。

2026年第3四半期決算

2026年12月期 第3四半期累計 創薬支援事業売上高推移

創薬支援事業　地域別売上高推移（連結）



国内

前年比37.8%増

- タンパク質販売は、堅調な受注を継続
- 主要顧客向けのプロファイリングサービスが好調に推移
- バイオベンチャー向けタンパク質、アッセイおよびNanoBRET™サービスの中規模案件が売上に寄与

米国

前年比4.2%増

- タンパク質販売が堅調に推移
- AI創薬ベンチャー向けのプロファイリングサービスが引き続き好調に推移
- NanoBRET™サービスも好調に推移

欧州

前年比162.8%増

- 創薬バイオベンチャーから受注したプロファイリング大型案件が引き続き売上に大幅に寄与
- タンパク質販売も好調に推移

その他

前年比104.7%増

- 主要顧客である中国CRO向けのタンパク質販売が引き続き高水準で推移
- 製薬会社からのプロファイリングサービスの受注が売上に貢献

2026年12月期 第3四半期累計 連結経営成績の概況

（百万円）	2025年 第3四半期 累計	**2026年 第3四半期 累計**	増減率	2026年 通期計画	要因
売上高	395	**573**	+178 +45.1%	720	
創薬支援	395	**573**	+178 +45.1%	720	• 欧州およびその他地域は、前年比2倍超の売上を計上 • 国内地域も大幅に伸長 • 米国は、前年並みの売上水準を維持
創薬	—	—	—	—	
営業損益	△1,551	**△1,532**	+19	△2,028	
創薬支援	△63	**82**	+146	108	
創薬	△1,488	**△1,615**	△127	△2,137	• 開発段階プログラムへの積極的な投資を継続
経常損益	△1,590	**△1,591**	△1	△2,053	
当期純損益	△1,600	**△1,633**	△33	△2,090	
研究開発費	1,349	**1,461**	+112	1,950	• docirbrutinib (AS-1763) フェーズ1b試験が順調に進捗 • docirbrutinib (AS-1763) の臨床試験費用、治験薬製造関連費用を中心に積極的な投資を継続

◆創薬事業におけるマイルストーン収入、契約一時金収入は、収入獲得の時期、金額を予想することが困難なため、2026年の事業計画に織り込んでいません

(注) 百万円未満は切り捨てして表示しています

バランスシートの状況（連結）

（百万円）	2025年12月期	2026年12月期第3四半期	増減額	主な増減理由
流動資産	1,175	1,241	+65	現金及び預金+27
現金及び預金	516	544	+27	
固定資産	54	61	+7	
資産合計	1,229	1,302	+73	
流動負債	168	255	+87	
固定負債	752	1,934	+1,181	第2回無担保普通社債+1,751 転換社債型新株予約権付社債の転換および消却△564
負債合計	920	2,189	+1,268	
純資産合計	309	△886	△1,195	当期純損失の計上△1,633 株式の発行による資本金及び資本準備金の増加+421
負債・純資産合計	1,229	1,302	+73	

自己資本比率	25.1%	△69.2%
一株当たり純資産	16.16円	△42.29円
PBR（株価純資産倍率）	22.0倍	—
（参考）当社株価	356円	432円

（注） 純資産がマイナスのため、PBRは表示しておりません。
当社株価は、各期末にける終値を記載しています。

資金調達

2026年9月28日開催の取締役会において、以下の内容の新株予約権付社債のプログラム発行及び新株式の発行による資金調達の実施を決議いたしました。

全て完了すると1,411百万円（新株予約権付社債の発行価額の総額及び新株式の払込金額の総額）を調達する予定です。

	発行日	払込金額の総額
（新株予約権付社債のプログラム発行）		
第4回	2026/10/14	187百万円
第5回	2026/11/4	187百万円
第6回	2026/11/25	187百万円
（新株式の発行）		
	2026/10/14	850百万円

（新株予約権の行使状況、転換社債の転換状況）

	docirbrutinib（AS-1763）開発促進新株予約権	第2回無担保転換社債型新株予約権付社債
9月末まで	調達金額　43百万円（発行株式数　128,000株）	転換総額　115百万円（発行株式数　628,456株）
10月	調達金額　59百万円（発行株式数　191,900株）	転換総額　116百万円（発行株式数　628,456株）
		10月末までに、全数の転換を完了

（2026年9月28日発表）資金調達の概要

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、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る資金調達の実施を決議いたしました。

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	2026年11月4日	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。

補足資料

docirbrutinib（AS-1763）

docirbrutinib (AS-1763)：フェーズ1b試験について

フェーズ1b試験は、フェーズ2試験推奨用量の決定と探索的な有効性評価を目的としています

試験の目的	フェーズ2試験推奨用量（RP2D）の決定と探索的な有効性評価
対象患者	2ライン以上の前治療歴があるCLL/SLL患者またはB-cell NHL患者

用量漸増パート

- **3+3デザインでの実施**
- **1日2回投与 (BID)**
- **100mg BID から 500mg BID まで患者登録完了**

用量拡大パート

3コホートに患者をエントリー
- **コホート1：CLL/SLL患者**
- **コホート2：B-cell NHL患者**
- **コホート3：pirtobrutinib前治療歴のある患者**

コホート1　※	コホート2	コホート3
用量レベルの設定と患者登録状況（現時点）		
300mg BID (患者登録完了) **400mg BID (患者登録中)**	300mg BID (患者登録完了) **400mg BID (患者登録中)**	**400mg BID (患者登録中)**

※ コホート1　今後の登録方針
300mg BID、400mg BIDについて、当初計画に基づく10名の患者登録を完了
暫定的なRP2Dとして400 mg BIDが選択されたことから、より信頼性の高いデータを取得するため、400 mg BID にさらなる症例を追加予定

フェーズ２試験へ

用語説明

2ライン以上の前治療歴のある患者
過去に2ライン以上の全身的治療を受けた患者を指します。一般に、有効性・安全性が確認されていない薬剤の初期臨床試験では、既存治療が効果を示さなくなったり、副作用により治療継続が困難となった患者において実施することが求められます

CLL/SLL
CLLは慢性リンパ性白血病、SLLは小リンパ球性リンパ腫を指します。これらは異常なリンパ球がどこで増えるかによって呼び名が異なりますが、同じ病気と理解されています

B-cell NHL
B細胞性非ホジキンリンパ腫を指します

用量漸増パート
低用量から投与を開始し、段階的に増量しながら、安全性と忍容性を評価し、副作用が忍容できる最大の用量（最大耐用量）や推奨用量を見極めることを目的とする試験パートです

3+3デザイン
1用量につき3人ずつ患者を登録し、副作用の発生状況に応じて次の用量に進むか判断する仕組みを指します

用量拡大パート
用量漸増パートで安全性や忍容性が確かめられた用量に基づき、より多くの患者で評価します

コホート
特定の条件を共有するグループを指します

pirtobrutinib
Eli Lilly社の開発した新薬（非共有結合型BTK阻害薬）です

docirbrutinib (AS-1763)：治験実施施設

治験実施施設（2026年6月末現在）

- UC Irvine Health
- Mount Sinai Comprehensive Cancer Center
- Moffitt Cancer Center
- Northwestern Memorial Hospital
- American Oncology Partners
- University of Maryland Medical Center-Greenebaum Comprehensive Cancer Center
- University of Massachusetts Memorial Medical Center
- Optum Medical Care PC
- Duke University
- Taylor Cancer Research Center
- Oncology Consultants
- University of Texas MD Anderson Cancer Center
- The Medical College of Wisconsin

✓ **米国トップレベルの病院13施設で臨床試験を実施中**

EHA2026発表：エグゼクティブ・サマリー

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

安全性の評価

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

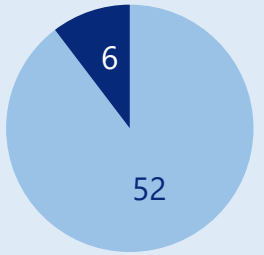
2026年5月8日時点



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

用語説明

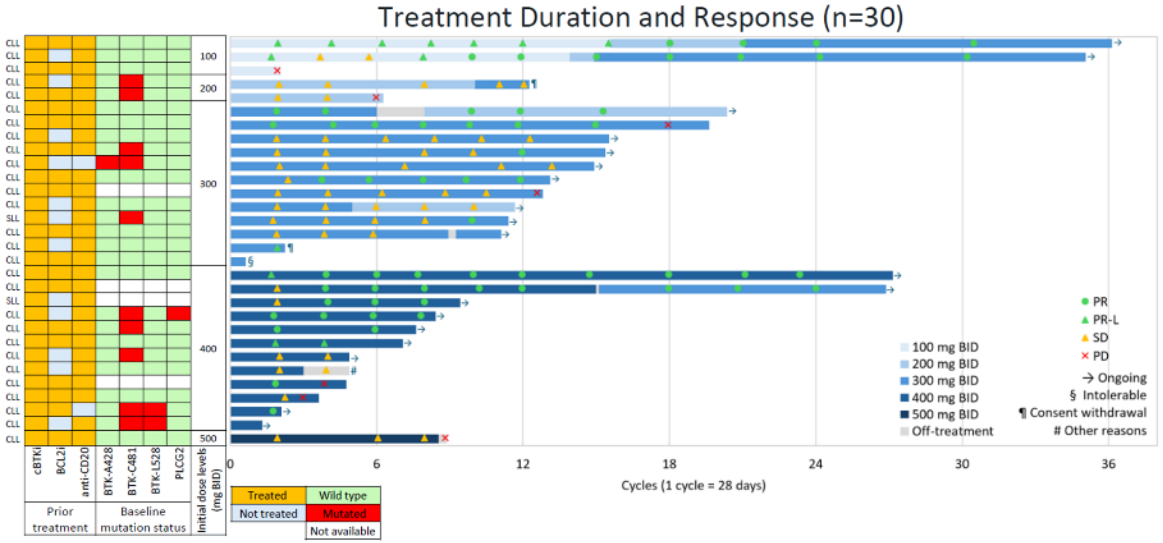
Grade 3 の有害事象
重症または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない程度の副作用を指します

有効性の評価：CLL/SLL

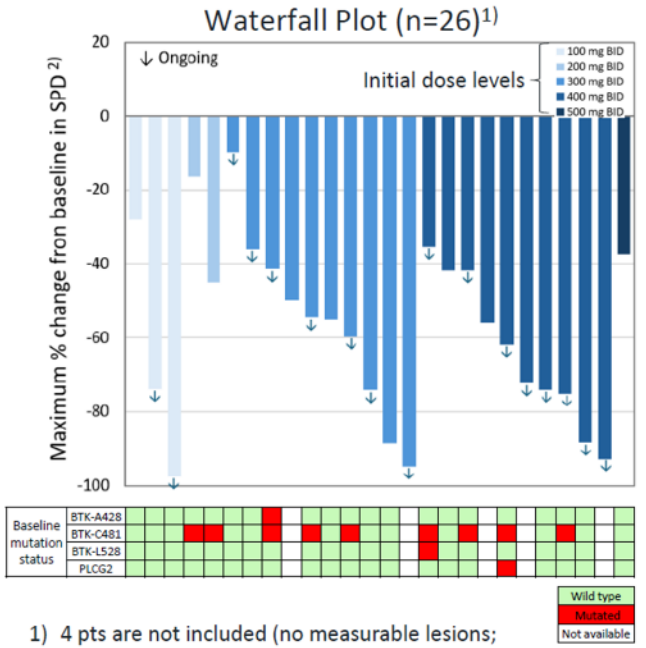
CLL/SLL 患者において、高い奏効率を示しています

2026年5月8日時点

- **前治療歴を有する患者に高い有効性が認められました**
  - ✓ 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
- **以上より400mg BIDを暫定的な第2相試験推奨用量(RP2D)とし、引き続き症例集積を進めています**
- **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



用量漸増パート及びコホート1に登録された CLL/SLL患者の有効性評価



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。

用語説明

有効性評価対象症例 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

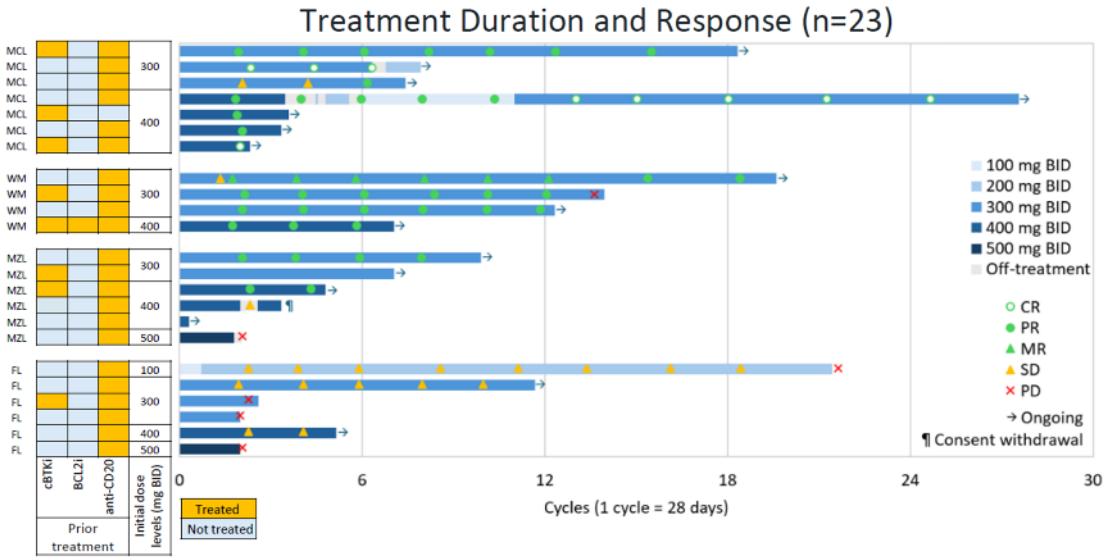
完全奏功（CR） 腫瘍病変が完全に消失した状態
部分奏功（PR） リンパ節腫大、脾腫、リンパ球数などが50%以上減少しているが、完全奏功までには至らない状態
リンパ球増多を伴う部分奏功（PR-L） リンパ節腫大、脾腫などが50%以上減少しているが、リンパ球数の減少が基準に達していない状態
安定（SD） 病勢が安定している状態
進行（PD） 病勢が進行した状態

有効性の評価：NHL

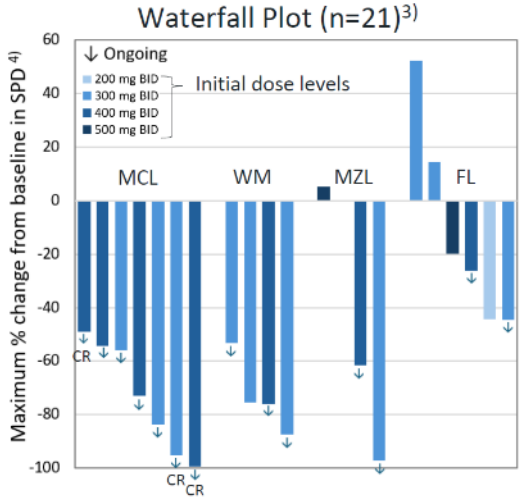
MCL、WM患者において、高い奏効率が認められています

2026年5月8日時点

- **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



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	ワ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 掲載論文：概要

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 Fujiwara[2], Tokiko Asami[2], Hiroko Endo[2], Mariko Hatakeyama[2], Fumio Nakajima[2], Hiroshi Ohmoto[2], Yu Nishioka[2], Kyoko Miyamoto[3], Akinori Arimura[2,3], Shady I. Tantawy[1,4], Javier Pinilla-Ibarz[5], Catherine C. Coombs[6], Nitin Jain[7]*, Masaaki Sawa[2]*, and Varsha Gandhi[1,7]*

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

BCJ掲載論文：本研究の背景

BTK阻害剤では薬剤耐性が問題となっており、その克服に向けて新しいタイプの阻害剤が求められています

BTK阻害剤の役割	• BTK阻害剤は慢性リンパ性白血病（CLL）の標準治療として使用されています
薬剤耐性の問題	• 共有結合型BTK阻害剤はBTKのC481変異による薬剤耐性が問題となっています • 非共有結合型BTK阻害剤もT474IやL528W変異による薬剤耐性が報告されています
新規阻害剤の必要性	• 複数の耐性変異を標的とできる新規阻害剤の開発が求められています
docirbrutinib(AS-1763)の薬剤耐性変異型BTKに対する効果	• docirbrutinibは強力で高選択的な非共有結合型BTK阻害剤であり、経口投与が可能で、複数の薬剤耐性変異型BTKに有効であることが確認されています



本研究では、薬剤耐性変異型BTKを導入したDLBCL細胞株を用い、**docirbrutinib単剤の効果**および**ベネトクラクスなどの他の薬剤との併用効果を検討**しました。また患者由来のCLL細胞を用いた実験も実施しました

用語説明

BTK阻害剤
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で、がん細胞の増殖を防ぎ、血液がんの治療に用いられる薬剤です

薬剤耐性
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ます

共有結合型BTK阻害剤
BTKのC481システイン残基に共有結合することで阻害作用を示す薬剤。しかし、このC481が変異すると共有結合ができなくなり、薬剤耐性が生じるという課題があります

C481, T474I, L528W
BTKのアミノ酸配列の内、何番目のアミノ酸が変異しているかを示している表現です

非共有結合型BTK阻害剤
BTKのC481システイン残基に共有結合せずにBTKの働きを阻害する薬剤。C481が変異しても阻害効果を示します

DLBCL細胞株
血液がんの一種であるびまん性大細胞型B細胞リンパ腫（DLBCL）に由来し、研究のために樹立されたB細胞株を指します

ベネトクラクス
BCL-2 の働きを阻害することでがん細胞を減らす薬剤です

BCJ掲載論文：主要な研究結果（1）

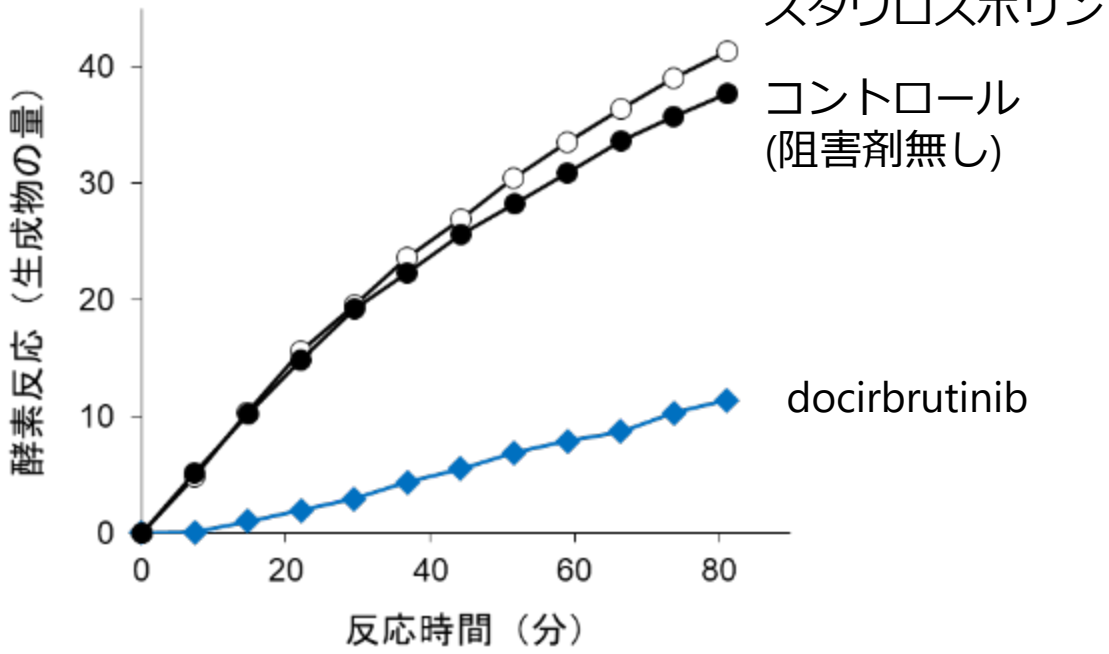
docirbrutinibは、持続的なBTK阻害による高い治療効果が期待されます



ユニークな阻害特性

- ✓ docirbrutinibは、BTKの不活性型構造に結合していることが示唆され、それに基づくslow off-rateを特徴とする阻害剤であることが確認されました

Rapid dilution実験







用語説明

slow off-rate
薬物などが標的と結合した後、解離するまでの時間が長い（解離速度が遅い）ことを指します。そのため、slow off-rateの特性を持つ薬物は、一般に作用が持続しやすい傾向があります

Rapid dilution（急速希釈）実験
酵素と阻害薬をあらかじめ結合させた後、溶液を急激に希釈して阻害薬の結合がどれだけ速く解離するか（＝off-rate）を測定する手法で、薬剤の結合の強さや作用持続性を評価するために用いられます。

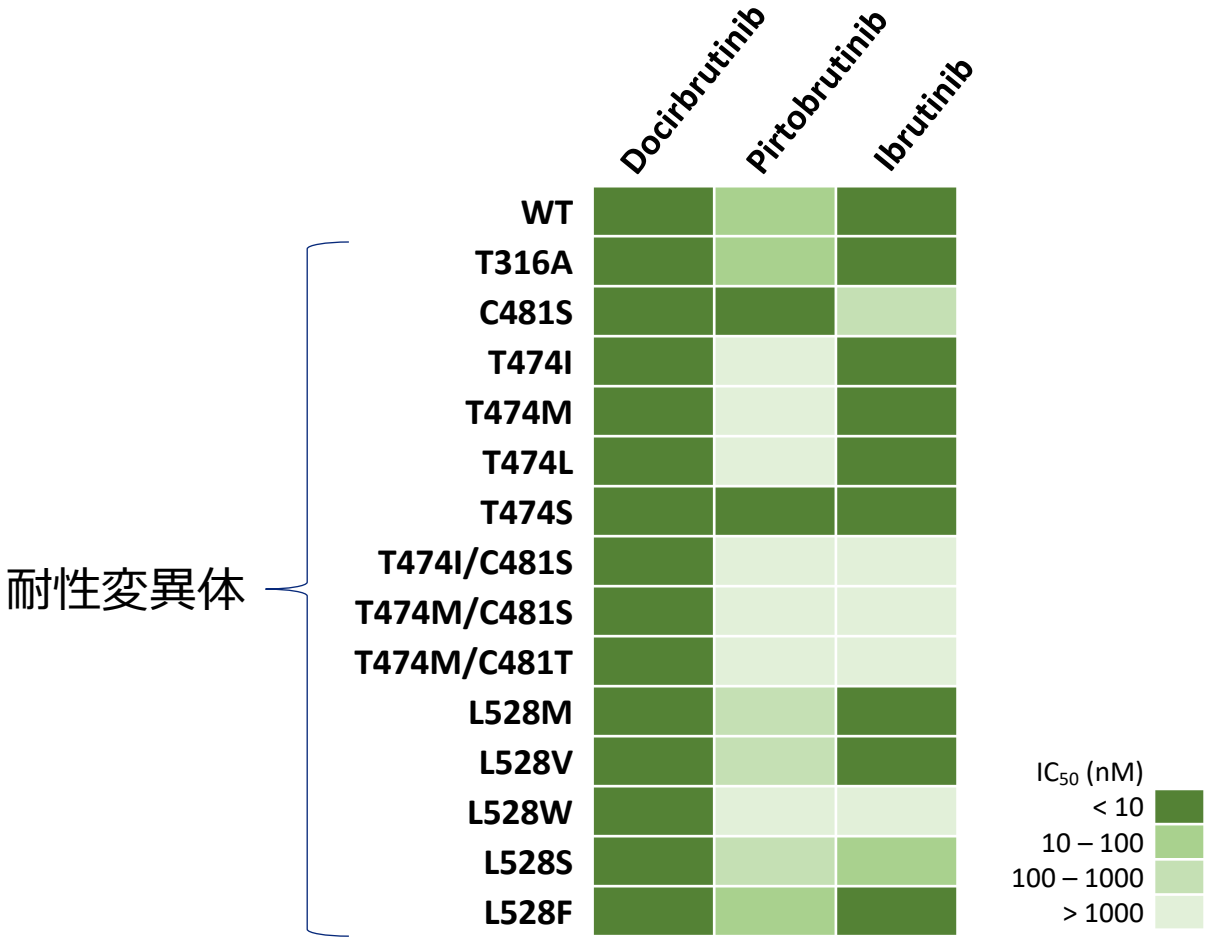
BCJ掲載論文：主要な研究結果（2）

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



用語説明

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。

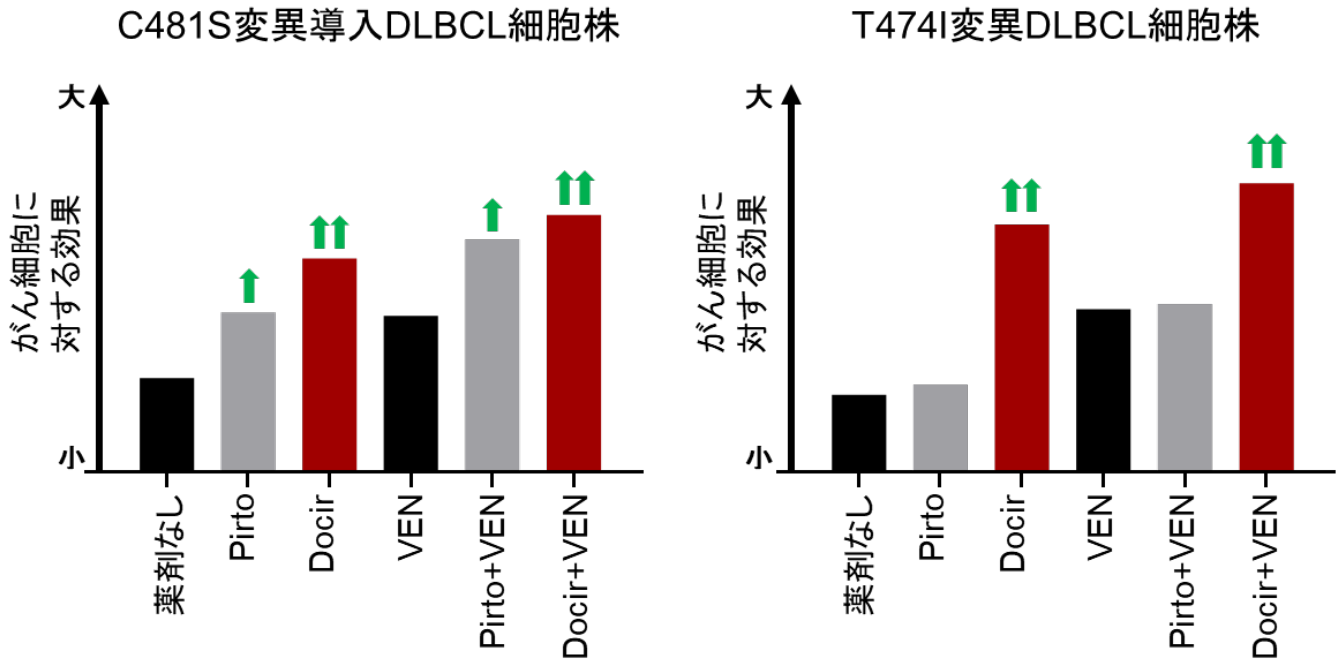
BCJ掲載論文：主要な研究結果（3）

docirbrutinibは、ベネトクラクスとの併用により、治療効果のさらなる向上が期待されます



ベネトクラクスとの併用効果

- ✓ ベネトクラクスとの併用で、薬剤耐性変異型BTKを有するがん細胞株や患者由来のCLL細胞で、より効果的に細胞死が誘導されることを確認いたしました
- ✓ またMCL-1阻害剤であるAZD5991とも高い併用効果を示すことを確認いたしました



Pirto: Pirtobrutinib
Docir: Docirbrutinib
VEN: Venetoclax

用語説明

MCL-1阻害剤

白血病などのがん細胞が生存するために利用している抗アポトーシス蛋白質MCL-1の働きを抑える薬剤で、細胞死（アポトーシス）を誘導することを目的とした治療薬です。AZD5991は、MCL-1を阻害する目的で開発中の未承認薬（研究用化合物）です。

補足資料

sofnobrutinib（AS-0871）

sofnobrutinib : 他のBTK阻害薬との差別化試験（催奇形性）

（開発コード：AS-0871）

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）を実施し、薬剤に起因する胎児の異常は確認されませんでした

- **胚・胎児発生毒性試験において催奇形性*が認められなかった**
- **慢性特発性蕁麻疹 (CSU) 患者のニーズを満たす新規治療薬として、今後も慎重かつ精力的に開発を推進いたします**

既存のBTK阻害薬の多くは、催奇形性*が認められるため女性への使用が制限されます

sofnobrutinib (AS-0871) は、ウサギ・マウス胚・胎児発生毒性試験において、母体及び胎児に薬物起因性の異常がなく、催奇形性が認められていないことから、より広い範囲の患者に対する治療の選択肢となることが期待されます

*催奇形性　：　妊娠中に薬剤を服用した場合に胎児に奇形を起こす性質

sofnobrutinib：重要な治療標的 ➡ 慢性特発性蕁麻疹（CSU）

（開発コード：AS-0871）

原因が不明で、１か月以上持続する**蕁麻疹**（瘙痒を伴った一過性の紅斑と膨疹が出没を繰り返す皮膚疾患）を**慢性特発性蕁麻疹**と呼ぶ。症状が数か月から数年続く。患者のQOLを大きく損なう

慢性特発性蕁麻疹の課題

- 既存の治療薬でコントロールできない患者がいる
- 医療経済的損失が大きい。特に疾患活動性の高い患者において、社会的・経済的に大きな負担となっている*
- 患者数が多い。人口の1%が罹患している*

有効な治療のアンメットニーズが高く大きな潜在市場が存在する

＊Br J Dermatol 2021;184:226-36.

競合薬

化合物	開発会社	開発段階
remibrutinib (LOU064)	Novartis	FDA承認

remibrutinibは、2025年9月に米国FDAより、慢性特発性蕁麻疹（CSU）の治療を目的とした初のBTK阻害薬として承認された。さらに、remibrutinibはCSU以外の様々な免疫関連の疾患を対象に臨床試験が進められている。*

*https://www.novartis.com/news

ビジネスチャンス

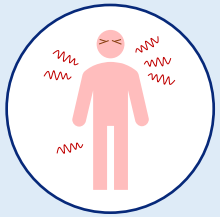
- Novartisは現在、慢性特発性蕁麻疹（CSU）の潜在市場を顕在化すべく全力で取り組んでいる
- remibrutinibは共有結合型BTK阻害剤、sofnobrutinib (AS-0871) は**非**共有結合型BTK阻害剤であり、この違いが安全性と有効性にどのような影響を及ぼすかを明らかにすることが差別化のポイント

慢性特発性蕁麻疹（CSU）

慢性特発性蕁麻疹は慢性的な痒み、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

症状

CSUを誘発する特定の外部刺激はないものの、免疫系が関係している可能性がある



突発的に症状が現れ、再発を繰り返す



慢性的で消耗性 6週間以上継続



膨疹



痒み

患者数

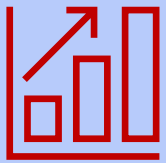
4.8 百万人

CSUと診断された患者数（主要7市場）

✓ CSUは世界人口の約1%が罹患している疾患

- ✓ 約半数のCSU患者において、抗ヒスタミン薬の効果が不十分
- ✓ 根治的治療がない
- ✓ 重症度の高い患者は、生活の質（QoL）が著しく低下し、消耗性の症状に苦しんでいる

市場規模



26.7億ドル*

2025年

✓ CSUの市場規模は、2035年には60.4億ドルになると予想されている*

*主要7市場+インド

Sources:
Maurer M, et al. Allergy. 2011;66:317–330.
https://www.credenceresearch.com/report/chronic-spontaneous-urticaria-market
https://www.delveinsight.com/report-store/chronic-spontaneous-urticaria-market
https://www.expertmarketresearch.com/reports/chronic-spontaneous-urticaria-market

原発性膜性腎症（pMN）

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。**

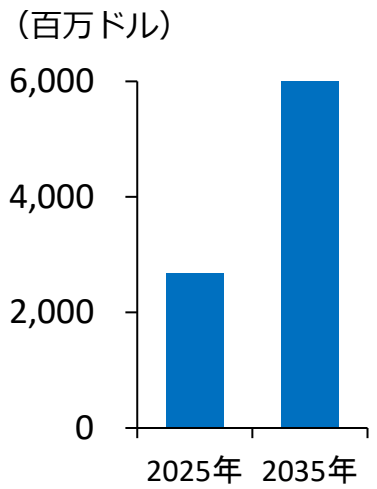
sofnobrutinib（AS-0871）の潜在市場規模

優先的に開発を進める疾患

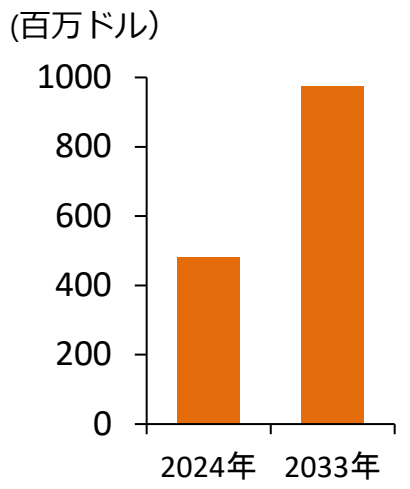
疾患名	患者数
CSU	• 患者数：4.8百万人*
天疱瘡	• 患者数：4.5万人*

*主要7市場

CSU
市場予測



天疱瘡
市場予測



適応拡大の可能性がある疾患

疾患名	患者数	市場規模予測
全身性 エリテマトーデス	世界の全身性エリテマトーデス患者数は10万人当たり15.87～108.92人	2030年までに35億ドルに拡大
多発性硬化症	2016年には、世界の多発性硬化症患者数は2.2百万人と推定されており、有病率は10万人当たり30.1人	2031年までに340億ドルに拡大
関節リウマチ	世界で18百万人が関節リウマチに罹患	2030年までに700億ドルに拡大

https://www.delveinsight.com/
https://www.expertmarketresearch.com/
https://www.grandviewresearch.com/
https://www.databridgemarketresearch.com/
https://ard.bmj.com/
https://straitsresearch.com/
https://www.skyquestt.com/
https://www.who.int/
Ann Rheum Dis 2023;82:351–356
Lancet Neurol 2019 ; 18: 269–85
Source: Clarivate

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