



証券コード：4583

# 決算補足資料

## 2018年12月期第2四半期

2018年8月14日



医療のアンメットニーズに創薬の光を

To accelerate drug discovery and development of mAb  
for therapeutics to overcome current medical unmet-needs

株式会社カイオム・バイオサイエンス



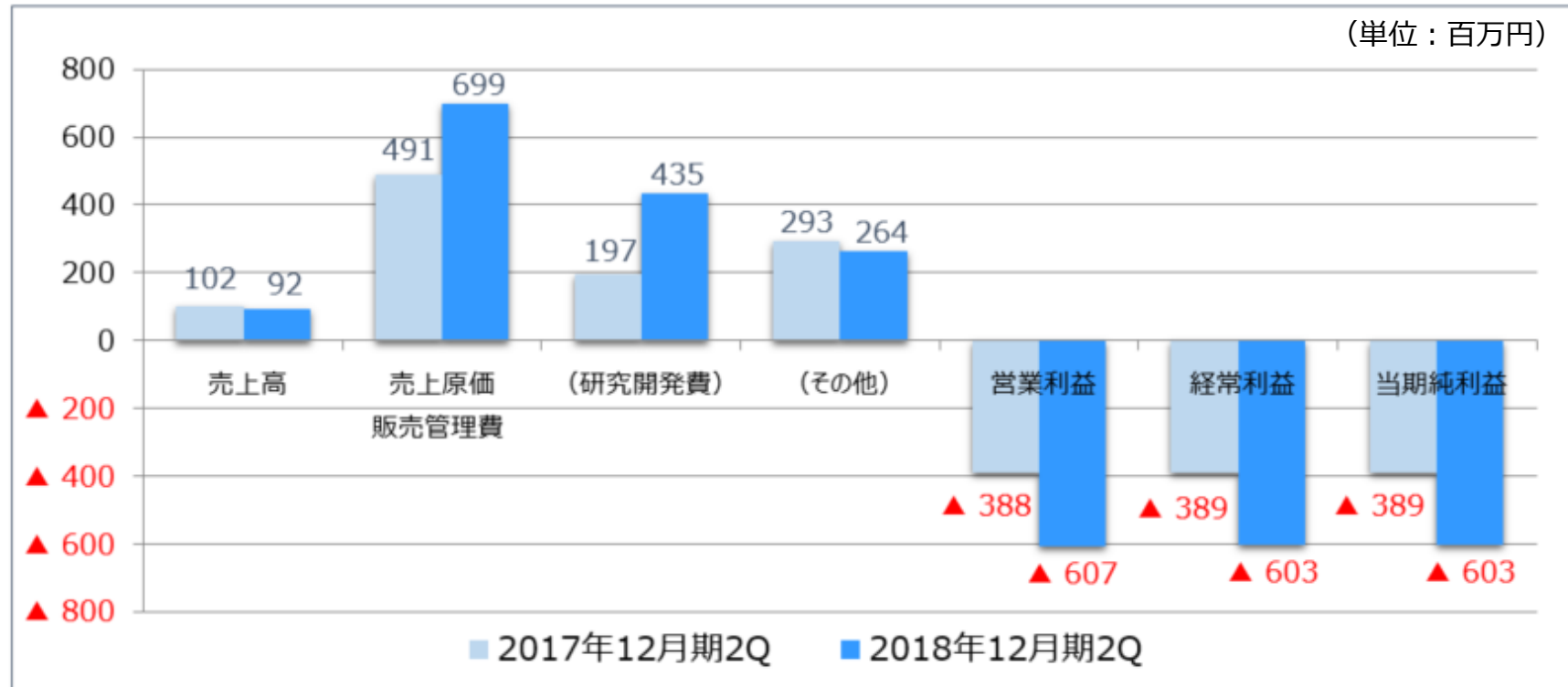
## **1. 2018年12月期第2四半期業績**

## **2. 2018年12月期事業進捗**

### **(参考) 事業概要**



## 2018年12月期第2四半期業績



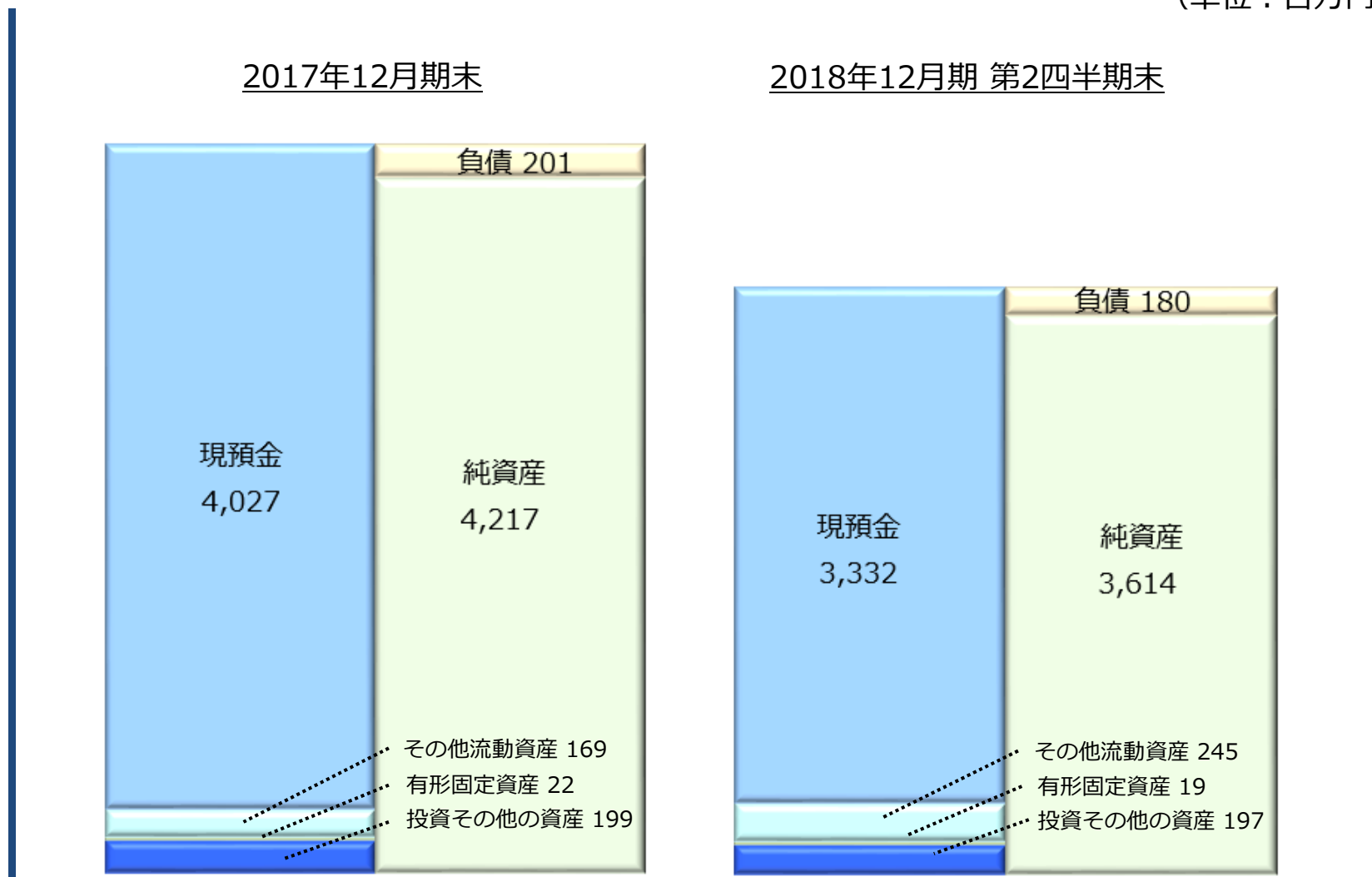
## 【売上高】

- ・ (創薬事業) BMAA (抗セマフォリン3A抗体) に関するSemaThera社との共同開発ライセンスおよび独占的オプション契約締結に伴うオプション料計上
- ・ (創薬支援事業) 抗体作製委託研究およびタンパク質調製に関する受託収入計上

## 【研究開発費】

- ・ CBA-1205 (LIV-1205Naked) に関連する臨床開発に向けた原薬および製剤開発委託費用
- ・ 創薬シーズ研究開発および創薬技術開発に関する国内外研究機関等との共同研究費

(単位：百万円)





## 2018年12月期 事業進捗



## 創薬事業

アンメットニーズの高い疾患領域における抗体創薬開発（共同開発を含む）を行い、その成果物である抗体に関する特許権等のライセンスを製薬企業等に導出し、契約一時金、マイルストーン収入、およびロイヤルティ収入等を獲得していく事業。

### 重点課題

- ・抗体作製力の維持向上と創薬パイプラインの拡充
- ・初期臨床開発体制の整備

## 創薬支援事業

製薬企業、診断薬企業および大学等の研究機関で実施される創薬研究を支援することで、サービス料等の収入を獲得する事業。当社の保有する抗体創薬技術プラットフォームを活用した抗体作製およびタンパク質調製が主なサービス内容。

### 重点課題

- ・受託サービスの充実
- ・新規顧客の獲得



## BMAA（ヒト化抗セマフォリン3Aモノクローナル抗体）

- ✓ SemaThera社においてオプション契約(2018年3月)\*に基づく評価を実施中。この評価期間中にオプション権の行使または不行使を判断する。

経緯	当社技術ADLib®システムで取得した抗セマフォリン抗体をヒト化したもの 横浜市立大学五嶋良郎教授との共同研究により選択性と機能阻害活性を兼ね 備えた抗体として確立
標的	セマフォリン3A（Semaphorin3A、SEMA3A）
想定適応疾患	糖尿病黄斑浮腫（DME）
期待	免疫系疾患、中枢疾患等、セマフォリン3Aとの関連が知られている幅広い 疾患領域での適応が期待される。
知財	日本、米国で成立。欧州で出願中。

### \*SemaThera社との契約（共同開発ライセンスおよび独占的オプション契約）

糖尿病黄斑浮腫および非眼科領域を含む糖尿病合併症等に関する治療薬および診断薬開発のため本抗体に関する当社の特許の全世界における独占的実施許諾のオプション権を付与

### 解決すべきアンメットニーズ：

成人の失明の主な原因疾患である糖尿病網膜症に対し、従来の治療薬では効果が見られない患者さんに対する新たな薬剤治療法の提供





## ADCT-701 (ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体の薬物複合体)

- ✓ ADC Therapeutics社に導出、臨床開発に向けた前臨床試験の最終段階が順調に進捗
- ✓ 2018年4月米国癌学会 (AACR) の年次集会において、ADCT社がADCT-701の前臨床データに関するポスター発表を実施

### タイトル:

ADCT-701, a novel pyrrolobenzodiazepine (PBD) dimer-based antibody-drug conjugate (ADC) targeting DLK-1-expressing tumors

### 発表要旨:

ADCT-701\*1は、DLK-1を発現する癌モデルのin vitro\*2およびin vivo\*3の試験において、強力かつ特異的な抗腫瘍活性を示し、ラットモデルで優れた血中安定性と忍容性が示された。

(ポスター資料: <https://adcttherapeutics.com/downloads/1529348412.pdf>)

\*1 ADCT-701とは、2017年9月に当社がADCT社に導出した当社開発の医薬候補抗体LIV-1205のADC開発用途における開発品。ADCT-701はADCT社における開発コード。

\*2 in vitro (イン・ビトロ) とは、“試験管内で (の)” という意味で、試験管や培養器などの中でヒトや動物の組織を用いて、体内と同様の環境を人工的に作り、薬物の反応を検出する試験

\*3 in vivo (イン・ビボ) とは、マウスなどの実験動物を用い、生体内に直接被験物質を投与し、生体内や細胞内での薬物の反応を検出する試験

### 解決すべきアンメットニーズ:

肝臓がんを始めとする固形腫瘍のうち、標準療法で十分な効果が得られない患者さんに効果を有する治療薬を提供する。



## CBA-1205 (旧コードLIV-1205、ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体)

- ✓ 臨床開発に向けてADCC活性を高めた抗体産生細胞株のMaster Cell Bank (MCB) の開発が計画通りに進捗。GLP毒性試験の準備。
- ✓ 臨床開発体制構築に着手、CRO, KOLにコンタクト開始。
- ✓ 2018年4月CBA-1205の標的分子DLK-1に関連する新潟大学との共同研究の研究成果が米国の論文誌Oncotargetに掲載

### タイトル:

Clinical outcome of hepatocellular carcinoma can be predicted by the expression of hepatic progenitor cell markers and serum tumour markers

### 研究成果ポイント:

- DLK-1を含む肝前駆細胞マーカーが複数発現している肝細胞がんは悪性度が高く予後不良であることが分かった。
- DLK-1陽性（前駆細胞マーカーの一つ）の肝細胞がん中での発現は、肝前駆細胞マーカーの中でも最も高率に認められる。肝細胞がんを層別化（分類）し、DLK-1をターゲットとした抗体で治療効果が示されれば悪性度の高い肝細胞がんの治療での貢献が期待される。

### 論文掲載先:

Oncotarget 2018, Vol. 9, pp:21844-21860 (<https://doi.org/10.18632/oncotarget.25074>)

### 解決すべきアンメットニーズ:






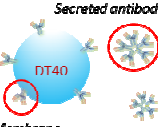
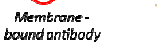
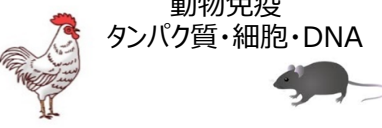
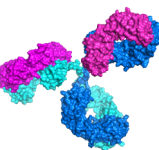


肝細胞がんを始めとした有効な治療薬がない悪性度の高い腫瘍に対する新たな治療薬の提供



## 創薬研究プロジェクト

- ✓ パイプライン拡充に向けた取り組み
  - ・新規創薬シーズに関わる創薬研究開発の推進
  - ・新規の創薬プロジェクトの発足に向けて、国内研究機関とアンメットニーズが存在する疾患領域での新規共同研究を開始
    - 第2四半期までに4件の新規共同研究を開始（8月現在、抗体作製共同研究5件実施中）
- ✓ 技術ポートフォリオの充実にに向けた取り組み
  - ・抗体創薬力向上のための基盤技術強化に向けた活動の推進
    - 第2四半期までに2件の新規共同研究を開始

### <技術ポートフォリオ>

タンパク質調製	抗体作製	抗体エンジニアリング
<p>発現培養</p>  <p>Recombinant proteins</p>  <p>精製</p>  <p>Membrane proteins</p> 	<p>ADLib®システム</p>  <p>Secreted antibody</p>  <p>Membrane-bound antibody</p>  <p>動物免疫 タンパク質・細胞・DNA</p>  <p>B cell cloning      ハイブリドーマ</p>	<p>親和性向上</p>  <p>抗体評価 機能・親和性・物性</p>  <p>試験用抗体生産</p> 



## 導出品

開発コード	標的分子	疾患領域	創薬研究	前臨床試験	臨床試験	導出先
ADCT-701 (LIV-1205 ADC)	DLK-1	がん				

## 自社パイプライン

開発コード	標的分子	疾患領域	創薬研究	前臨床試験	臨床試験	ステータス
CBA-1205※1 (LIV-1205Naked)	DLK-1	がん				自社開発中
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				導出活動中
BMAA	SEMA3A	糖尿病黄斑 浮腫、他	SemaThera社において独占的評価実施中			—
創薬研究 プロジェクト (8件※2)	非開示	がん 感染症 希少疾患				—

※1 自社開発中のLIV-1205Naked抗体は臨床開発コードを「CBA-1205」に変更いたしました。

※2 2018年8月現在 創薬研究プロジェクト8件（うち共同研究5件）、その他抗体作製共同研究5件実施中。



## 製薬企業等との取引

- ✓ 中外製薬グループとの委託研究取引基本契約に基づく取引を中心に、国内外企業および研究機関に向けて、タンパク質調製・抗体作製サービスを実施

## 売上拡大への取り組み

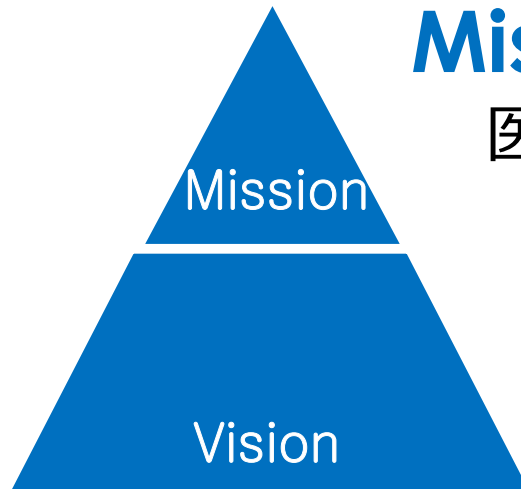
- ✓ 新規のタンパク質調製・抗体作製サービスの営業活動を積極的に実施  
→国内製薬企業との新規取引開始

### 【創薬支援事業主要取引先（2018年8月現在）】

- ・ 中外製薬株式会社
- ・ Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd
- ・ 田辺三菱製薬株式会社
- ・ Tanabe Research Laboratories U.S.A., Inc.
- ・ **協和発酵キリン株式会社（2018年2Q 取引開始）**
- ・ **小野薬品工業株式会社（2018年2Q 委受託基本契約締結、取引開始）**



## **(参考) 事業概要**



## Mission

医療のアンメットニーズに創薬の光を

## Vision

アンメットニーズに対する抗体医薬の  
開発候補品を生み出すNo.1ベンチャー  
企業を目指す

### 経営方針

- 健全な経営と信頼性の確保を第一に、社会とともに成長する企業を目指す。
- 創造と科学をもってアンメットニーズに対する治療薬を開発して患者さんに貢献する。
- 外部連携により継続的なパイプライン創出と企業価値向上を実現する。



## 創薬事業

治療薬・診断薬の創薬ビジネス

<研究開発の注力領域>

- ・ 有効な薬剤がない
- ・ 薬効が不十分
- ・ 副作用が強い
- ・ QOLが悪い

成長性

## 創薬支援事業

抗体創薬に関わる受託ビジネス

- ・ 抗体作製  
(ADLib<sup>®</sup>法/B-cell cloning)
- ・ 抗原タンパク質調製
- ・ 抗体供給

安定性

アンメットニーズに対する開発候補品を継続的に創出し、患者さんへ貢献する

医療のアンメットニーズに創薬の光をあてる





## 1. 複数の抗体作製技術

- ・ ADLib®システム
- ・ マウス・トリB-cell cloning
- ・ ヒト抗体産生マウス・ラット (TC社技術)
- ・ ハイブリドーマ法
- ・ DNA免疫法、細胞免疫法

## 2. 抗体創薬支援機能

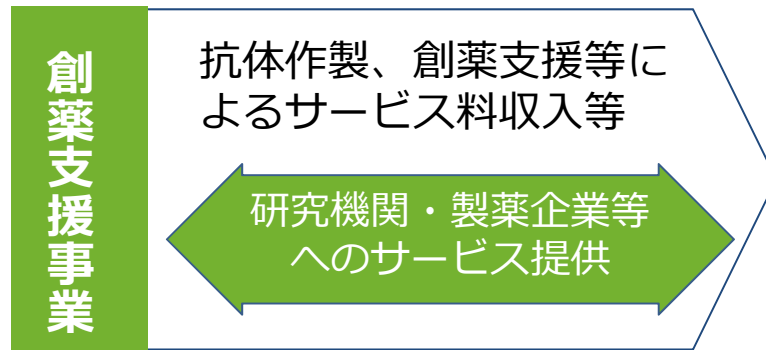
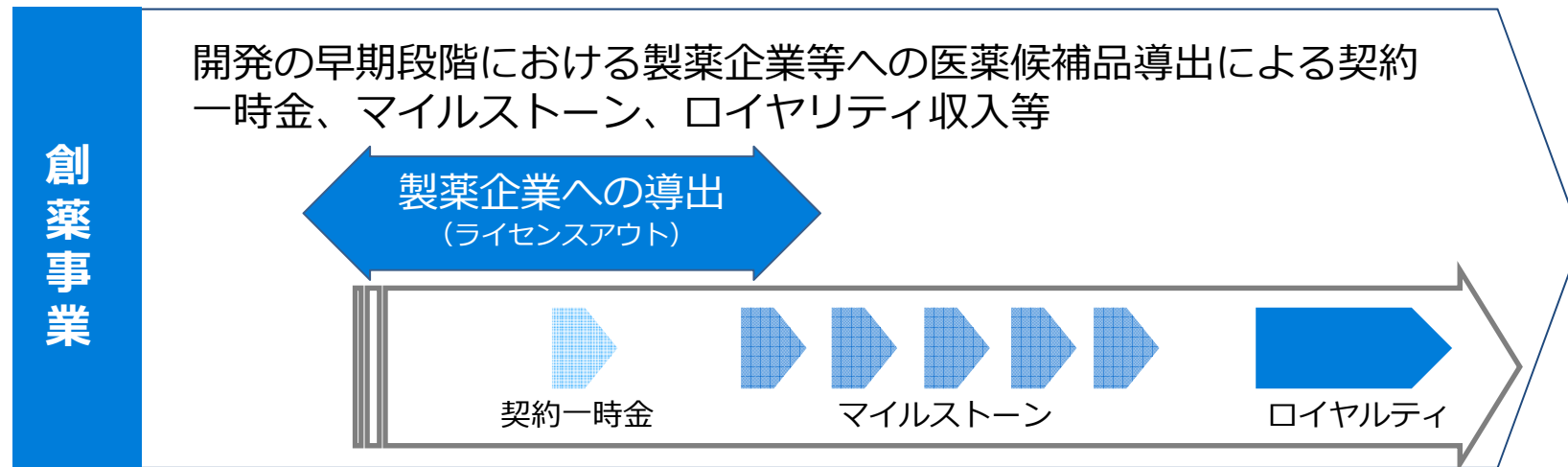
- ・ 抗原タンパク質調製
- ・ 抗体生産 (~25L)
- ・ 親和性向上
- ・ 評価系

## 3. 外部ネットワークを通じたシーズ探索力

- ・ 質の高い研究者
- ・ 専門領域の広さと深さ
- ・ 外部ネットワーク
- ・ 事業開発・知財・法務



## 一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル





2018年6月30日現在

商号	株式会社カイオム・バイオサイエンス	
事業内容	独自の抗体創薬基盤技術を含む創薬プラットフォームを用いた抗体医薬品の創製・開発事業、および創薬・診断薬に関する受託事業	
所在地	本社 技術研究所	東京都渋谷区本町三丁目12番1号 住友不動産西新宿ビル6号館
	創薬研究所	神奈川県川崎市宮前区野川907 帝京大学生物工学研究センター
設立年月日	2005年2月8日	
資本金	5,454,775千円（2018年6月30日現在）	
従業員数	正社員：37名（研究者：27名／博士号保有者：18名） 契約社員等：11名	
役員	代表取締役	小林 茂
	取締役	美女平 在彦
	取締役（社外）	太田 邦史
	取締役（社外）	降矢 朗行
	常勤監査役（社外）	斉藤 健一郎
	監査役（社外）	達 保宏
	監査役（社外）	田口 信夫
主要株主	みらかホールディングス株式会社、松井証券株式会社、大和証券株式会社他	



用語	説明
アンメットニーズ	現状の医療では満たされていないニーズのこと。有効な治療法や薬剤がない、薬剤があっても使い勝手が悪い、副作用が強い、一時的に症状を抑えても再発する、時間とともに悪化するような場合、あるいは治療費が非常に高額になるような場合のこと。
シーズ	事業化・製品化の可能性はあるものの、まだ“種（シーズ）”の状態であり、そのままでは顧客に提供できない技術やノウハウのことを指す。当社の場合、研究初期段階のターゲット抗原やその候補、抗体等が有力な候補となる。
マイルストーン	導出後の臨床試験等の進捗にともない、その節目（マイルストーン）ごとに受領する収入のこと。
臨床試験	臨床試験は、少数の治験参加者に投与し、薬の安全性と薬が体内に入ってどのような動きをするのかを明らかにする第1相試験（フェーズ1）、比較的少数の患者さんに投与し、薬の効き目、副作用、使い方を調べる第2相試験（フェーズ2）、並びに多数の患者さんに薬を投与し効果と安全性を確かめる第3相試験（フェーズ3）の3段階がある。初期臨床試験は主に第1相試験および初期の第2相試験のことを指す。
ロイヤルティ	製品が販売（上市）された後に、その販売額の一定比率を受領する収入のこと。
ADC	抗体薬物複合体（Antibody drug conjugate）のこと。例えば、悪性腫瘍の細胞表面だけに存在するタンパク質（抗原）に特異的に結合する抗体に毒性の高い薬剤を結合させると、そのADCは悪性腫瘍だけを死滅させることができる。このため、ADCは比較的副作用が少なく効き目の強い薬剤となる可能性がある。
ADCC活性	抗体依存性細胞傷害活性（Antibody-Dependent-Cellular-Cytotoxicity）のこと。抗体薬にはがん細胞の表面に発現する標的抗原に結合し抗腫瘍効果を示す直接的な作用のほかに、患者さん自身の免疫細胞を介して抗腫瘍効果を発揮しうる作用がある。そのため、抗体薬が生体内の免疫細胞をがん周囲に呼び寄せ、集まった免疫細胞を活性化することによって、より大きな治療効果を期待できることがある。このような作用をADCC（抗体依存性細胞傷害）活性という。
ADLib <sup>®</sup> システム	カイオムが独自で開発した抗体作製プラットフォーム。
B cell cloning	抗原をトリやマウスなどの実験動物に免疫した後、その動物からBリンパ細胞を含む脾臓やリンパ節を取り出し、目的の抗原に結合する単一のBリンパ細胞を選択（クローニング）する手法。



用語	説明
CRO	Contract Research Organizationの略称。製薬会社が医薬品開発のために行う治験業務（臨床開発）を受託・代行する企業のこと。臨床試験の企画支援、モニタリング、データマネジメント、薬事申請、非臨床試験等、製薬会社との委受託契約に基づき、それらのサービスの一部または全てを提供する。
GLP	Good Laboratory Practiceの略称。医薬品の安全性に関する前臨床試験の実施の基準。
KOL	Key Opinion Leaderの略称。製薬会社の販売促進に影響力を持つ医師などの医学専門家のこと。インフルエンサーと呼ばれることもある。製薬会社が新薬を開発した際に、適切な治療指針を示し、他の医師達に普及・浸透をはかるプロモーターのような役割を担う。医薬品申請時にもKOLの見解は重視される。





# 医療のアンメットニーズに創薬の光を

To accelerate drug discovery and development of mAb  
for therapeutics to overcome current medical unmet-needs







- 本資料は、株式会社カイオム・バイオサイエンス（以下、当社という）を御理解頂くために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。
- 本資料に掲載されている将来の見通し、その他今後の予測・戦略などに関する情報は、本資料の作成時点において、当社が合理的に入手可能な情報に基づき、通常予測し得る範囲で判断したものであり、多分に不確定な要素を含んでおります。実際の業績等は様々な要因の変化等により、本資料記載の見通しとは異なる結果を生じる可能性があります。
- 将来の展望に関する表明は、様々なリスクや不確かさを内在しております。
- 今後、新たな情報や将来の出来事等が発生した場合でも、当社は本発表に含まれる「見通し情報」の更新、修正を行う義務を負うものではありません。