



証券コード：4583

2019年12月期第1四半期 決算補足資料

2019年5月13日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



1. 2019年12月期第1四半期業績

2. 2019年12月期事業進捗

(参考) 事業概要



2019年12月期第1四半期業績



	2018年12月期 1Q	2019年12月期 1Q	増減	増減の理由等
売上高	45	63	18	
(創薬事業)	0	0	0	
(創薬支援事業)	45	63	18	・ 中外製薬グループ、小野薬品からの受託収入の増加
売上原価・販管費	348	490	142	
(研究開発費)	205	363	157	・ CBA-1205の臨床試験に向けた原薬等開発委託費用およびCRO費用の計上
(その他)	143	127	△15	
営業損失 (△)	△302	△426	△123	<p>[売上高] 既存・新規顧客の取引拡大により創薬支援事業売上前年同四半期比40%増</p> <p>[研究開発費] 原薬等開発委託費用の増加</p>
経常損失 (△)	△300	△432	△131	
当期純損失 (△)	△301	△430	△129	

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。



	2018年12月期	2019年12月期1Q末
流動資産	2,609	3,047
(現預金)	2,328	2,776
固定資産	221	219
資産合計	2,831	3,266
流動負債	113	177
固定負債	41	41
負債合計	154	218
純資産合計	2,676	3,048
負債・純資産合計	2,831	3,266

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。



2019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、およびロイヤルティ等の収入を獲得していく事業。

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。



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	2019年後半に治験届予定			2017.9~ ADC THERAPEUTICS

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 (ADCC enhanced)	DLK-1	がん	2020年以降に臨床試験第1相試験開始予定 MCB構築完了、CMC推進中			自社開発中
CBA-1535 (Tribody™)	5T4×CD3 ×5T4	がん	2021年以降の治験申請を予定 技術移管が予定通り進捗、CMO・CROの選定へ			2018.12 新規取得
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん	複数社で評価中			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 評価期間2年目へ			2018.3 オプション付き 評価契約締結 
創薬研究 プロジェクト (5件)	非開示	がん 感染症 中枢神経	2019年末には新たな導出パッケージ完成を目指す			—



CBA-1205 (ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体)

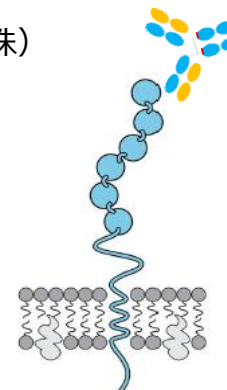
ファーストインクラス

✓ 臨床試験開始に向けた準備が順調に進捗

- ADCC活性を高めた抗体のMCB (master cell bank : 抗体産生細胞株) の構築が完了。現在GMP製造中。
- CRO選定完了。2020年以降、臨床試験第1相試験開始予定。

✓ 2019年4月米国癌学会 (AACR) 年次集会でのポスター発表

- 臨床試験に向けて製造したリード抗体を用いて実施した動物モデルの薬効試験のデータを発表。



タイトル : CBA-1205, a novel glycoengineered humanized antibody targeting DLK-1 exhibits potent anti-tumor activity in DLK-1 expressing tumor xenograft models

概要 : CBA-1205はDLK-1を発現する複数の癌モデルの*in vitro*および*in vivo*における試験において、強力かつ特異的な抗腫瘍活性が示された。特に肝細胞癌のゼノグラフトモデルにおいては、投与した全てのマウスで腫瘍退縮効果が認められ、4例では腫瘍消失が確認された。



CBA-1535 (ヒト化抗5T4・抗CD3二重特異性抗体)

✓ 臨床開発に向けてCMO・CROの選定へ

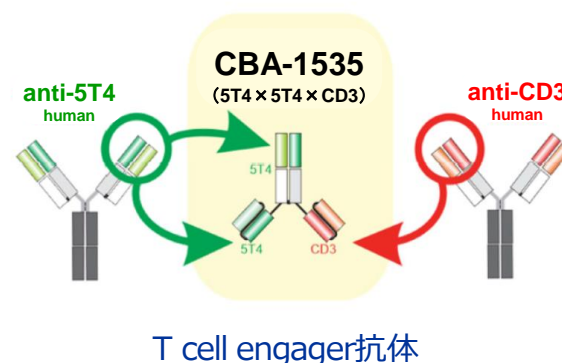
原薬・治験薬製造を委託するCMO および、臨床試験実施のためのCROの選定に着手。
2021年後半以降の治験申請を見込む。

✓ Tribody技術の移管が順調に進捗

がん治療用抗体CBA-1535とともに英国Biotechnol社から取得したTribody技術の移管も予定通り順調に進捗。

CBA-1535とは

- ✓ 2018年12月、英国Biotechnol社から資産譲受により当社が取得したがん治療用抗体
- ✓ 多くの固形がんが発現が見られるタンパク質5T4と免疫細胞であるT細胞上のタンパク質CD3を結合させる抗体でT細胞の増殖と活性化を誘導して強力な細胞障害活性を発揮する。
- ✓ 想定適応疾患：悪性中皮腫、小細胞肺癌や非小細胞肺癌など





BMAA (ヒト化抗セマフォリン3Aモノクローナル抗体)

ファーストインクラス

✓ SemaThera社における評価は2年目へ

2018年3月に締結したオプション契約*に基づく評価が2年目に入り、オプション料を計上。

*共同開発ライセンス及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に、本抗体に関する当社の特許を、全世界において独占的に実施することを許諾するオプション権を付与する。



✓ 当社の抗セマフォリン3A抗体を用いた研究に関する論文掲載

国立大学法人新潟大学が当社の抗セマフォリン3A抗体を用いて実施した研究成果に関する論文がScientific Reports誌に掲載。

タイトル : Semaphorin 3A Inhibits Nerve Regeneration During Early Stage after Inferior Alveolar Nerve Transection
(<https://www.nature.com/articles/s41598-018-37819-6>)

論文概要 : 「IAN (下歯槽神経) 切断の直後に中枢側の部位にSemaphorin 3Aの発現が誘導され、これを抗Sema3A抗体で阻害することで傷害部位の神経再生が促されることからSemaphorin3A-neuropilinのシグナルが損傷からの回復初期の神経再生を阻害しneuromaの形成に影響していると考えられる」



LIV-2008 (ヒト化抗TROP-2モノクローナル抗体)

- ✓ 海外製薬会社等による導入のための評価試験を実施中
- ✓ 2019年4月米国癌学会 (AACR) 年次集会でのポスター発表
 - 東京慈恵会医科大学より当社との共同研究により実施した膵がんに対する光免疫療法に関するポスター発表が行われた。

タイトル : TROP2-targeted photoimmunotherapy in experimental human pancreatic cancer

概要 : TROP-2は多くの固形癌の細胞表面に発現しているがん関連抗原である。ヒト化抗TROP-2抗体に光感受性色素であるIR700を結合させた複合体 (TROP-2-IR700) は、すい臓がん細胞株における*in vitro*および*in vivo*において特異的な抗腫瘍活性を示し、TROP-2陽性のすい臓がんに対する光免疫療法の可能性が示唆された。

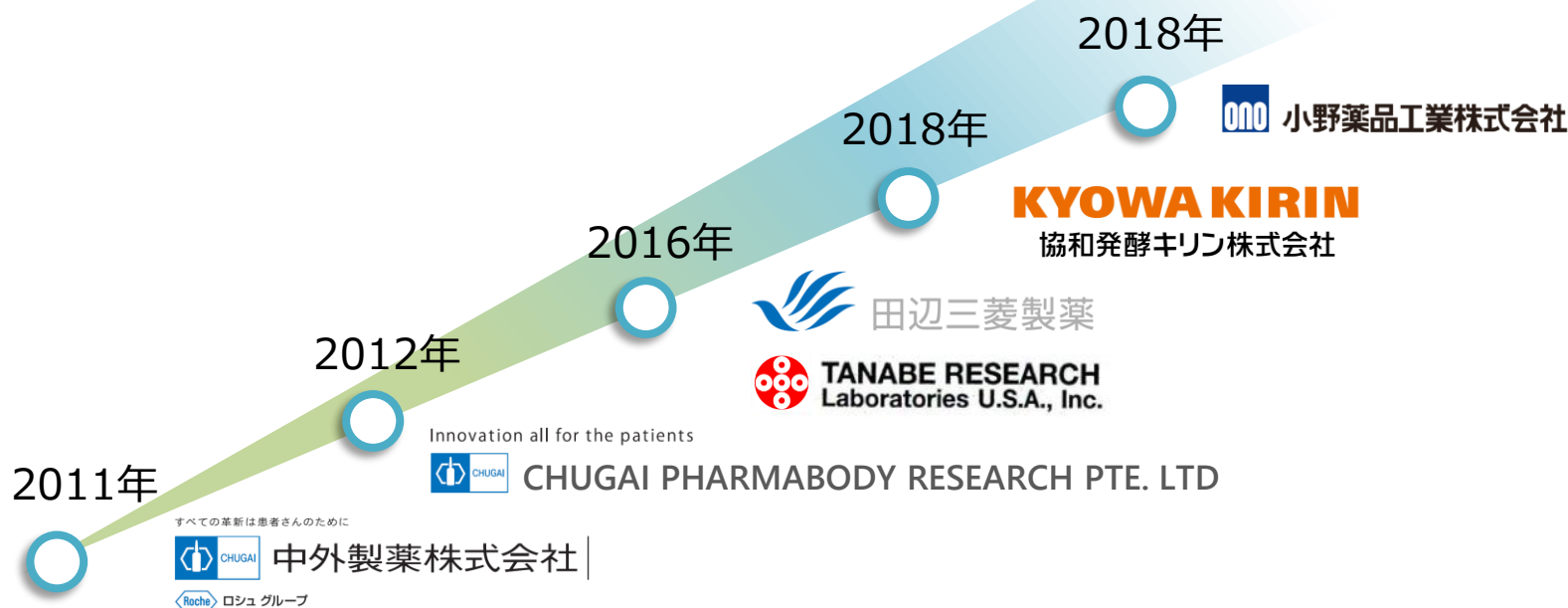


製薬企業との取引

✓ 取引高の拡大へ（第1四半期実績は前年対比約40%増）

- 2018年より新たに取引を開始した小野薬品との取引高が順調に拡大。
- アカデミアやバイオベンチャーからの抗体作製案件も受託。
- 新たな取引先開拓に向けた営業活動の実施。

<主要な取引先>





資金調達の状況

行使価額修正条項付き第14回新株予約権の行使状況

2019年4月末現在

累計行使個数	4,833個
資金調達額	1,057百万円
未行使個数	1,595個（総割当個数 6,428個）

<第14回新株予約権発行の目的>

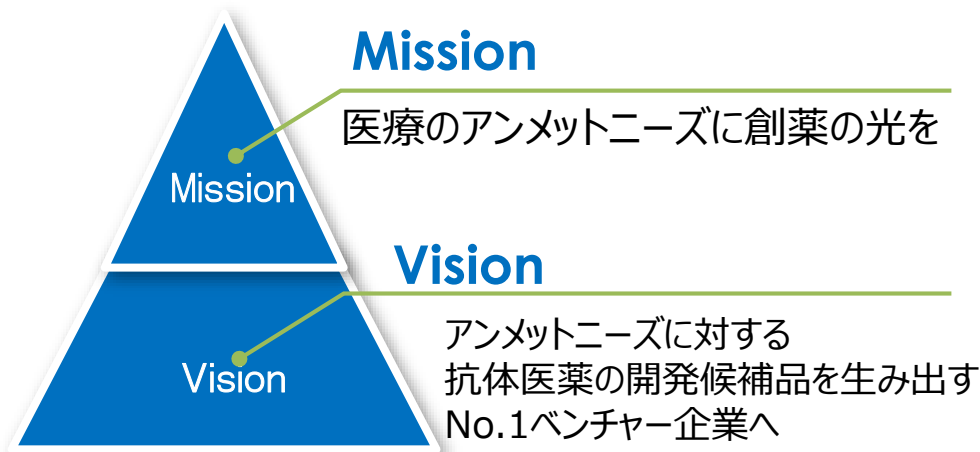
具体的な資金用途	金額	支出予定時期
① がん治療用抗体（CBA-1535）の初期臨床試験 並びに原薬および製剤開発の研究開発資金	1,200百万円	2019年4月 ～2021年12月
② 新規治療用抗体創製に向けた基礎研究開発資金	282百万円	2019年1月 ～2020年12月



(参考) 事業概要



アンメットニーズに対する治療用抗体創製を手掛けるバイオベンチャー



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。
-サイエンスと患者さんの架け橋になる-
- 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。

■設立	2005年2月
■上場	2011年12月 東証マザーズ (4583)
■代表	小林 茂
■所在地	[本社および技術研究所] 東京都渋谷区本町三丁目12番1号 [創薬研究所] 神奈川県川崎市宮前区野川907
■従業員	50名 (研究員37名 うちPhD18名)
■事業内容	抗体医薬品の研究開発等 (2019年3月31日現在)



< アンメット (メディカル) ニーズ >

現状の医療では満たされていないニーズ、つまり、いまだ有効な治療法や薬剤がない疾患に対する医療ニーズのことです。今もなお、世界にはアンメットニーズが数多く存在しており、新薬の開発が待たれています。



技術プラットフォーム (Chiome's mAb Discovery Engine)

タンパク質調製

発現培養



Recombinant proteins



精製

Membrane proteins

抗体作製

ADLib®システム



Secreted antibody
DT40
Membrane-bound antibody

動物免疫
タンパク質・細胞・DNA



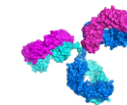
B cell cloning



ハイブリドーマ

抗体エンジニアリング

親和性向上



抗体評価
機能・親和性・物性

多価抗体作製



試験用抗体生産

独自技術を含む複数の**抗体作製技術**と、**タンパク**や**抗体エンジニアリング**に関する**高度な技術**や**ノウハウ**を有し、これを統合的に駆使することによって、**治療標的**に対する**最適な治療用抗体**の創製に取り組むことが可能となります。

コア・コンピタンスを軸に、
創薬事業と創薬支援事業を展開

創薬事業

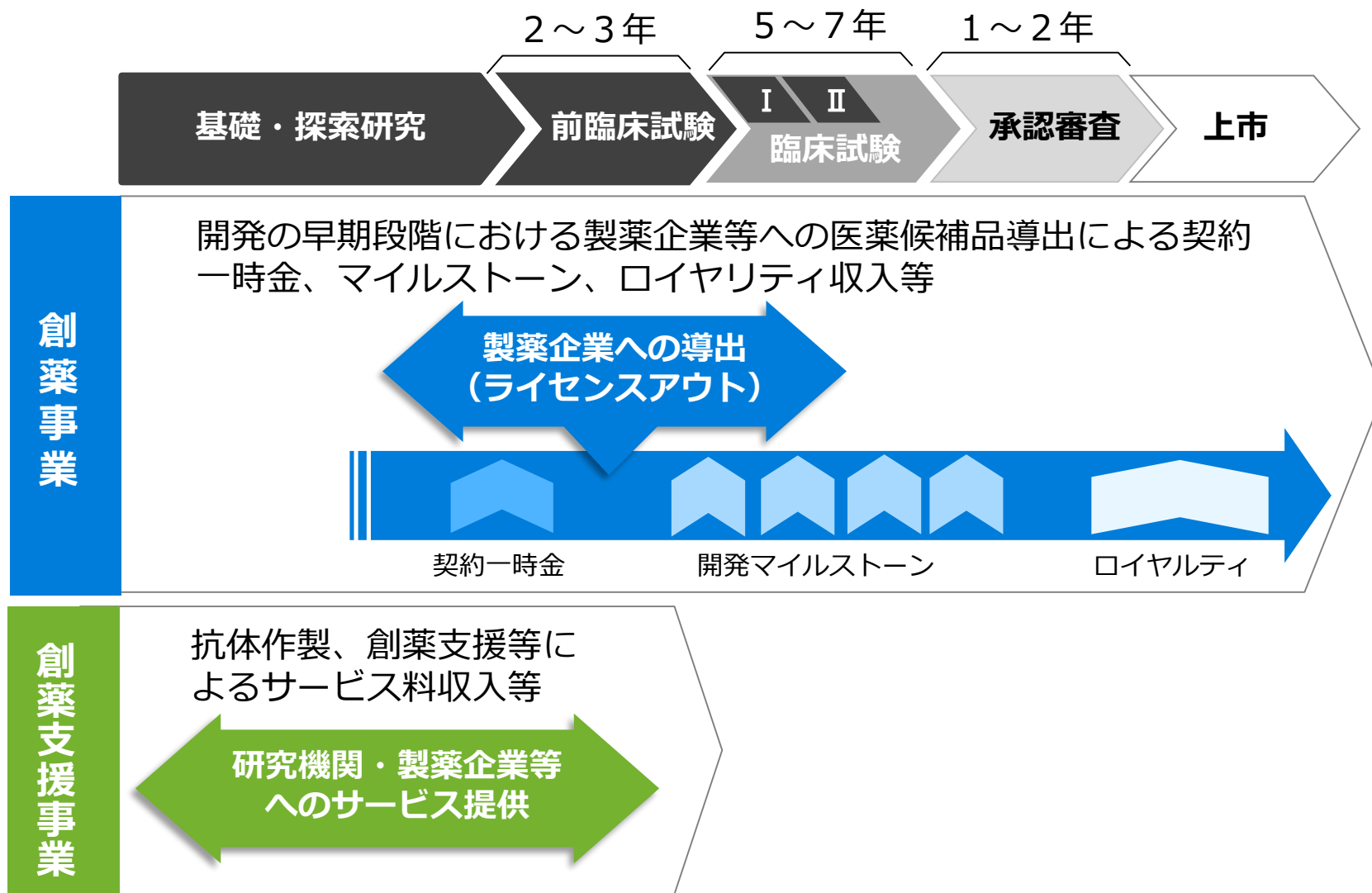
アンメットニーズの高い領域における抗体創薬開発を行い導出するビジネス

創薬支援事業

製薬企業等に抗体創薬にかかわる技術サービスを提供する受託ビジネス

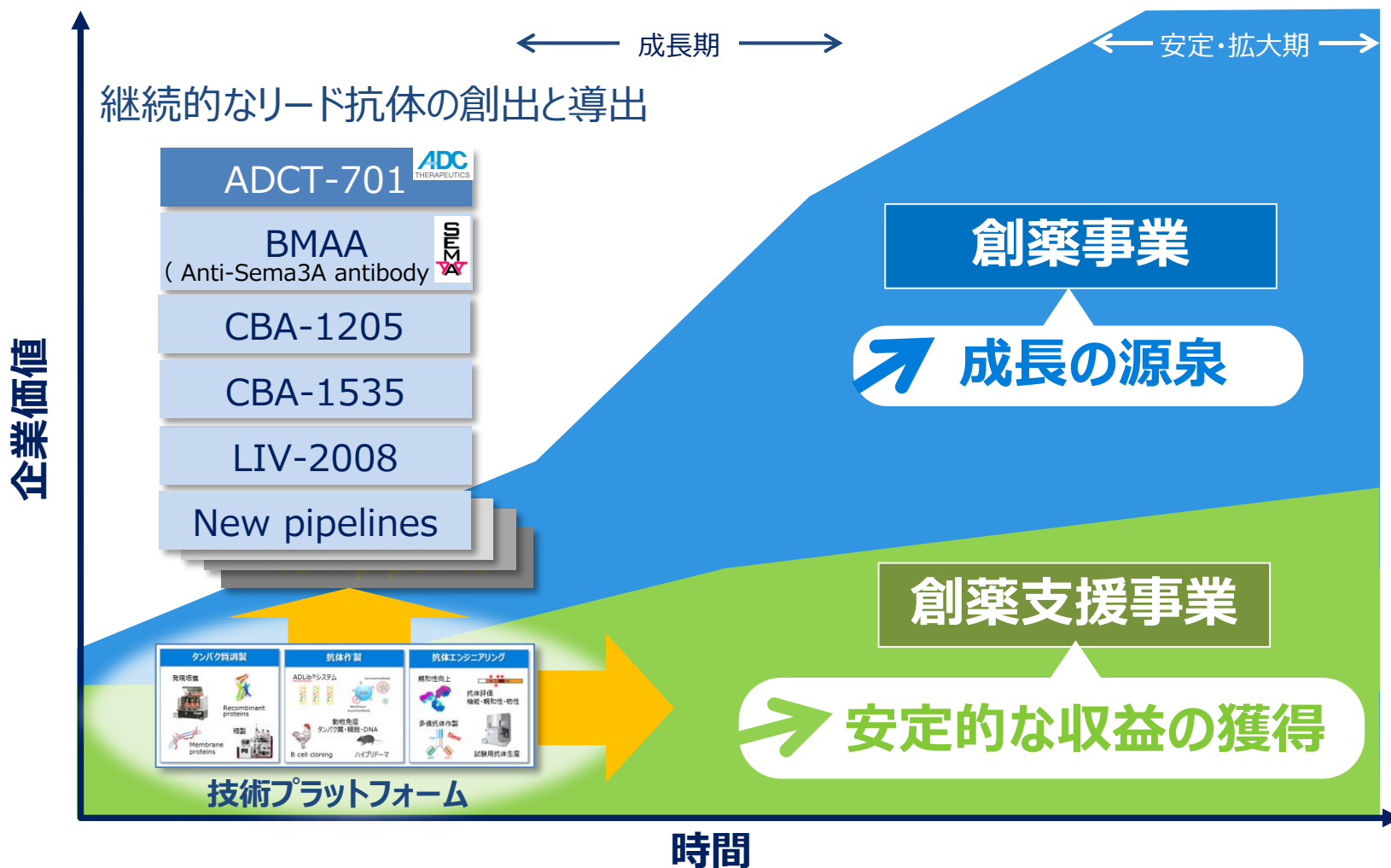


一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル





技術プラットフォームをコアに「継続的な創薬」と「高品質な研究支援機能を提供」





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。
ファーストインクラス	新しい薬効としてはじめて承認される新医薬品のこと。特に新規性・有用性が高く、化学構造や作用メカニズムが従来の医薬品と異なるなど、従来の治療体系を大幅に変えるような独創的な新医薬品をいう。
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 [®] 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。



用語	説明
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。
CMO	Contract Manufacturing Organizationの略称。製薬会社から医薬品（治験薬・市販薬を含む）の製造を受託する企業のこと。医薬品を製造するためには、GMP（医薬品等の製造管理および品質管理に関する基準）をクリアする必要があり、CMOはGMPに対応できる技術力と設備を開発ライン・製造ライン共に備えている。
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。
GMP	Good Manufacturing Practiceの略称。医薬品等の製造管理および品質管理に関する基準。WHO等の国際機関や各国の規制当局が策定している最終医薬品の製造に関する規範等。GLPはGood Laboratory Practiceの略称で医薬品の安全性に関する前臨床試験の実施の基準。
MCB	Master cell bankの略。抗体などタンパク質を医薬品として製造する際に用いる安定発現細胞株。恒常的に安定して抗体などを製造することができる。
T細胞	リンパ球の一種で、免疫反応の司令塔として重要な役割を果たす細胞。T細胞はその機能によって、免疫応答を促進するヘルパーT細胞、逆に免疫反応を抑制するサプレッサーT細胞、病原体に感染した細胞や癌細胞を直接殺すキラーT細胞などに分類される。
T cell engager抗体	1つまたは2つの抗原結合部位でがん細胞上の標的分子に結合し、一方でT細胞に発現するCD3に結合することによりT細胞の増殖と活性化を誘導し、T細胞による強力な細胞障害活性を発揮する抗体のこと。



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。