



証券コード：4583

# 2021年12月期第1四半期 決算補足資料

2021年5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. 2021年12月期第1四半期業績

## 2. 2021年12月期第1四半期事業進捗

(参考)

事業概要

パイプライン紹介



# 2021年12月期第1四半期業績

# 損益計算書



	2020年12月期 1Q	2021年12月期 1Q	増減	増減の主な理由等
売上高	90	246	155	
(創薬事業)	0	103	103	・ LIV-2008/2008bライセンス契約一時金の計上
(創薬支援事業)	89	143	53	・ 既存顧客との安定的な取引による売上計上
売上原価・販管費	517	401	△115	
(研究開発費)	342	216	△126	・ CBA-1205製剤費用が前期より減少
(その他)	174	185	10	・ 受託取引増加に伴う売上原価の増加
営業損失 (△)	△426	△155	271	<p>[ 売上高 ]            前期比171%増加            創薬事業はLIV-2008/2008b            ライセンス契約、創薬支援事            業は好調な受託売上が、売上            高増加に寄与</p>
経常損失 (△)	△424	△149	275	
当期純損失 (△)	△425	△160	264	

※ 百万円未満は切り捨ててして表示しています。

# 貸借対照表



	2020年12月期末	2021年12月期1Q末
流動資産	3,248	3,293
（現預金）	2,686	2,580
（その他）	562	713
固定資産	246	243
資産合計	3,494	3,537
流動負債	342	377
固定負債	41	41
負債合計	384	419
純資産合計	3,109	3,117
負債・純資産合計	3,494	3,537

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。



# 2021年12月期第1四半期事業進捗



## 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の自社開発または共同開発を行い、その成果物である抗体に関する特許権等の知財権を製薬企業等へ実施許諾し、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。当社の成長を担う事業。

## 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。主として国内製薬大手企業に対して、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・抗体エンジニアリングおよびタンパク質調製を提供する“高付加価値型受託研究ビジネス”。安定的な収益を獲得する事業。

# 創薬事業 (パイプライン)



## 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	ステータス
ADCT-701 (LIV-1205 ADC)	DLK-1	がん (ADC)				2017.9~ 
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				2021.1~ 

## 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				第一相試験中
CBA-1535 (Tribody™)	5T4×CD3 ×5T4	がん				臨床試験準備中
BMAA	SEMA3A	糖尿病黄斑 浮腫、他				2021.5.14 SemaThera社と の契約終了
PCDC <small>*特許出願情報公開後に詳細開示</small>	非開示*	がん (ADC)				導出活動中
創薬研究 プロジェクト (5件)	非開示	がん 感染症 中枢神経				—



# 創薬事業 (パイプライン)



## CBA-1205

ヒト化抗DLK-1  
モノクローナル抗体

- ✓ 国立がん研究センターで第一相試験前半パートが順調に進捗
  - ▶ 患者さんへの薬剤投与量を段階的に上げながら安全性を確認
- ✓ 第一相試験後半パートの開始は2021年後半を目指し、肝細胞がん患者さんでの有効性の初期評価へ

## CBA-1535

ヒト化抗5T4・抗CD3  
二重特異性抗体

- ✓ 臨床試験に向け準備中
  - ▶ 治験薬製造委託CMOにおいて治験薬製造の準備が進捗、CMC開発に係る費用が増加の見通し。
  - ▶ 新型コロナの影響によりCMC開発が当初予定から遅延傾向。ただし、現時点で本件が治験申請スケジュールに与える影響は無し。

## BMAA

ヒト化抗セマフォリン3A  
モノクローナル抗体

- ✓ SemaThera社との共同開発ライセンス及び独占的オプション契約終了
  - ▶ 当社の研究開発活動及び事業機会を確保。今後はセマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた研究開発と事業開発を検討。

## PCDC

- ✓ ADC用途を中心とした導出活動の推進

## 創薬PJ (5件)

- ✓ 開発・導出候補品の創出に向けた活動 (新規共同研究、Tribody創薬)

## LIV-2008

導出品  
ヒト化抗TROP-2  
モノクローナル抗体

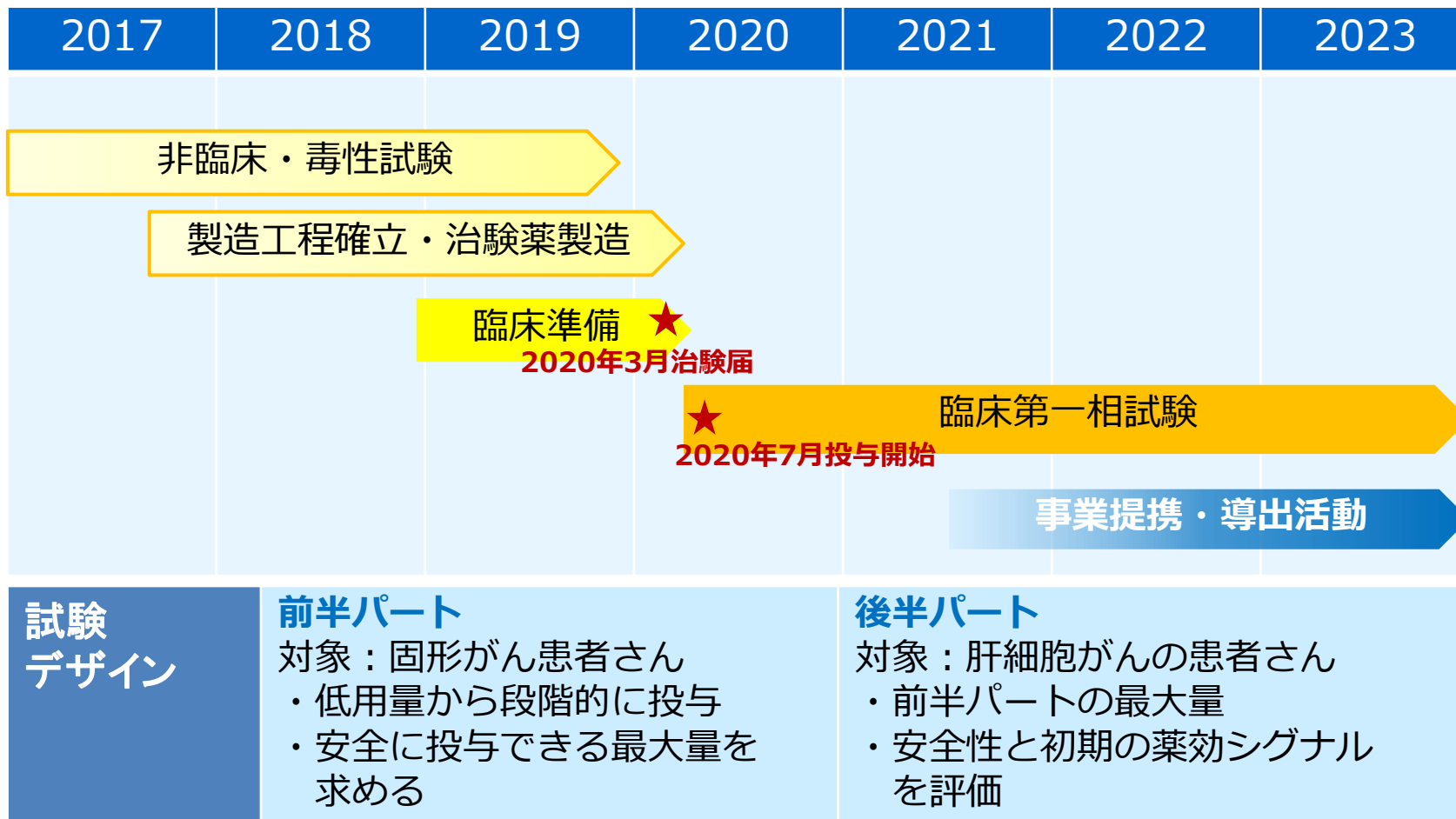
- ✓ 2021年1月Shanghai Henlius Biotech, Inc. とライセンス契約締結、中国、台湾、香港、マカオにおける開発・製造・販売権を許諾
- ✓ 引き続き複数の海外製薬企業において導入評価が実施中

導出品  
ADCT-701

- ✓ ADCT社により臨床試験に向けた準備が進行中



## CBA-1205 第一相試験前半パートが順調に進捗 本年中に初期薬効評価を目的とする後半パートへ





## がん治療用抗体LIV-2008およびLIV-2008bに関する Shanghai Henlius Biotech, Inc.とのライセンス契約の締結

### ライセンス契約概要

- ✓ 中華人民共和国、台湾、香港およびマカオにおけるLIV-2008およびLIV-2008bの開発、製造および販売権をHenlius社に許諾（サブライセンス権付き）。
- ✓ 上記以外の全世界における権利についてのオプション権を付与。
- ✓ 契約一時金1百万ドルと開発マイルストーン、販売ロイヤルティを得る。

#### 本ライセンス契約の経済条件

契約一時金1百万USドル。オプション権を行使して全世界での開発、製造および販売を行う場合、オプション行使時の一時金と開発および販売の進捗に応じたマイルストーンの総額は最大約122.5百万USドル。その他、本医薬品が上市された場合には販売額に応じた一定料率のロイヤルティ収入を受領する。

### Shanghai Henlius Biotech, Inc.とは

Henlius社は、中国上海市に本社を置くグローバルなバイオ医薬品企業で、2010年の設立以来、研究開発から製造、商業化までの医薬品のライフサイクル全体を通じて、効率的で革新的な統合プラットフォームを構築している。Henlius社はこれまでにバイオシミラー医薬を3品目上市しているほか、米国でCOVID-19に対する治療薬候補の臨床試験を開始。また、独自の抗PD-1モノクローナル抗体“HLX10”を基盤としたがん免疫療法における研究開発を継続している。国際的な複合企業Fosun Group傘下2019年香港証券取引市場に上場。（2696HK）



## SemaThera社との抗セマフォリン3A抗体の 共同開発ライセンス及び独占的オプション契約の終了

### 契約終了の経緯

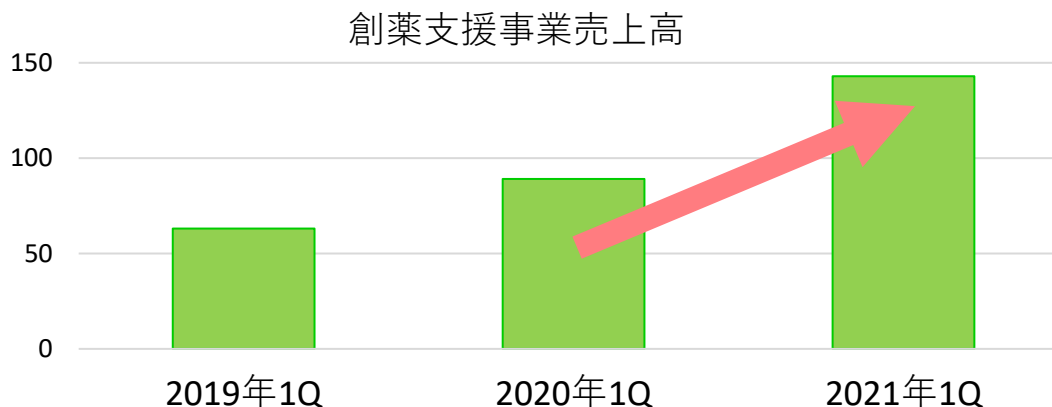
- ✓ 2018年3月にSemaThera社と抗セマフォリン3A抗体の共同開発ライセンス及び独占的オプション契約を締結。以降、糖尿病黄斑浮腫及び非眼科領域を含む糖尿病合併症に対する治療薬及び診断薬の開発を目的として、SemaThera社が本抗体のin vivo薬効データ等の取得など評価を実施。
- ✓ SemaThera社でのオプション行使判断にはまだ時間を要する状況が示され、ファーストインクラス\*の本抗体を当社での独自の研究開発活動及び事業機会を確保することを目的として、両社合意の上で本契約を終了すること決定。  
(2021年5月14日公表)
- ✓ 今後は当社独自でセマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた研究開発と事業開発を検討へ。

\*ファーストインクラスとは

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。

## 製薬企業との取引

- 国内製薬企業等との安定した取引による売上高143百万円・前期比で59%増加



### <主要な取引先>

取引先名称	契約締結年月
中外製薬株式会社	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社	2018年10月
協和キリン株式会社	2019年 7月



## 英国のMologic Ltd.との診断薬用抗体作製に関する Collaborative Research Agreement（共同研究契約）締結

### 契約概要

- ✓ 2021年5月14日付で共同研究契約を締結、期間は最長1年間
- ✓ 当社はADLib®システムを用いて複数の感染症等の抗原に対する抗体を作製し、Mologic社と共同で診断薬候補として評価を実施する。
- ✓ これまでにMologic社とは個別のプログラムにおいて抗体作製の受託サービスを提供。本契約ではMologic社が取り組む感染症等の領域において、当社の抗体作製技術およびノウハウを積極的に活用し、迅速な抗体作製を実施することが可能となる。
- ✓ 本契約に伴い当社はMologic社から研究費を受領。また、診断薬によって収益が得られた場合には、その一部をロイヤルティとして受領する見込み。

### Mologic Ltd.とは

Mologic社は、英国ベッドフォードシャーに本社を置く、ラテラルフロー法および迅速な診断方法、製品、サービス開発の分野のリーディングカンパニーであり、「ポイント・オブ・ケア（患者さんに近いところでの診療）」の観点から、迅速で信頼性の高い診断法を提供しています。注力領域である感染症や伝染病の領域では、現実の医療において必要とされている国や地域に対する診断薬等の開発を通じて、グローバルヘルスの向上に貢献しています。

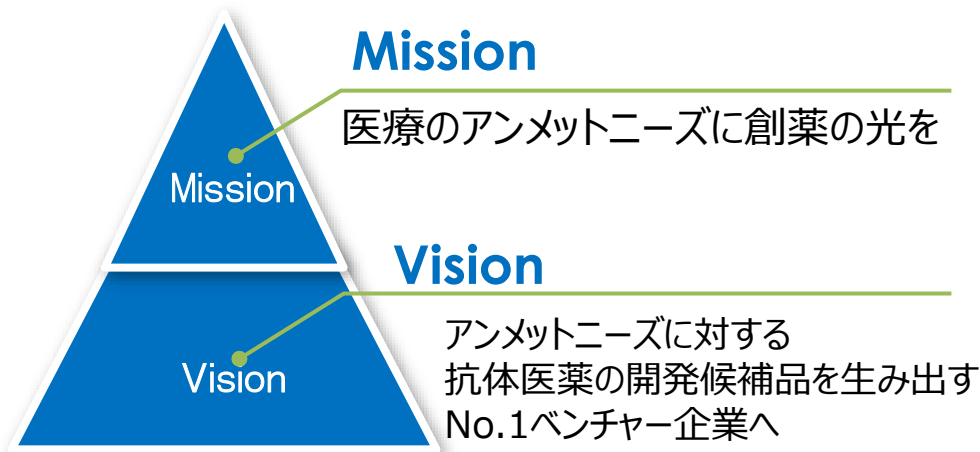
(<https://mologic.co.uk/>)



## **(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本町 二丁目13番3号
■従業員	59名 (研究員44名 うちPhD20名)
■事業内容	抗体医薬品の研究開発等 (2021年4月30日現在)



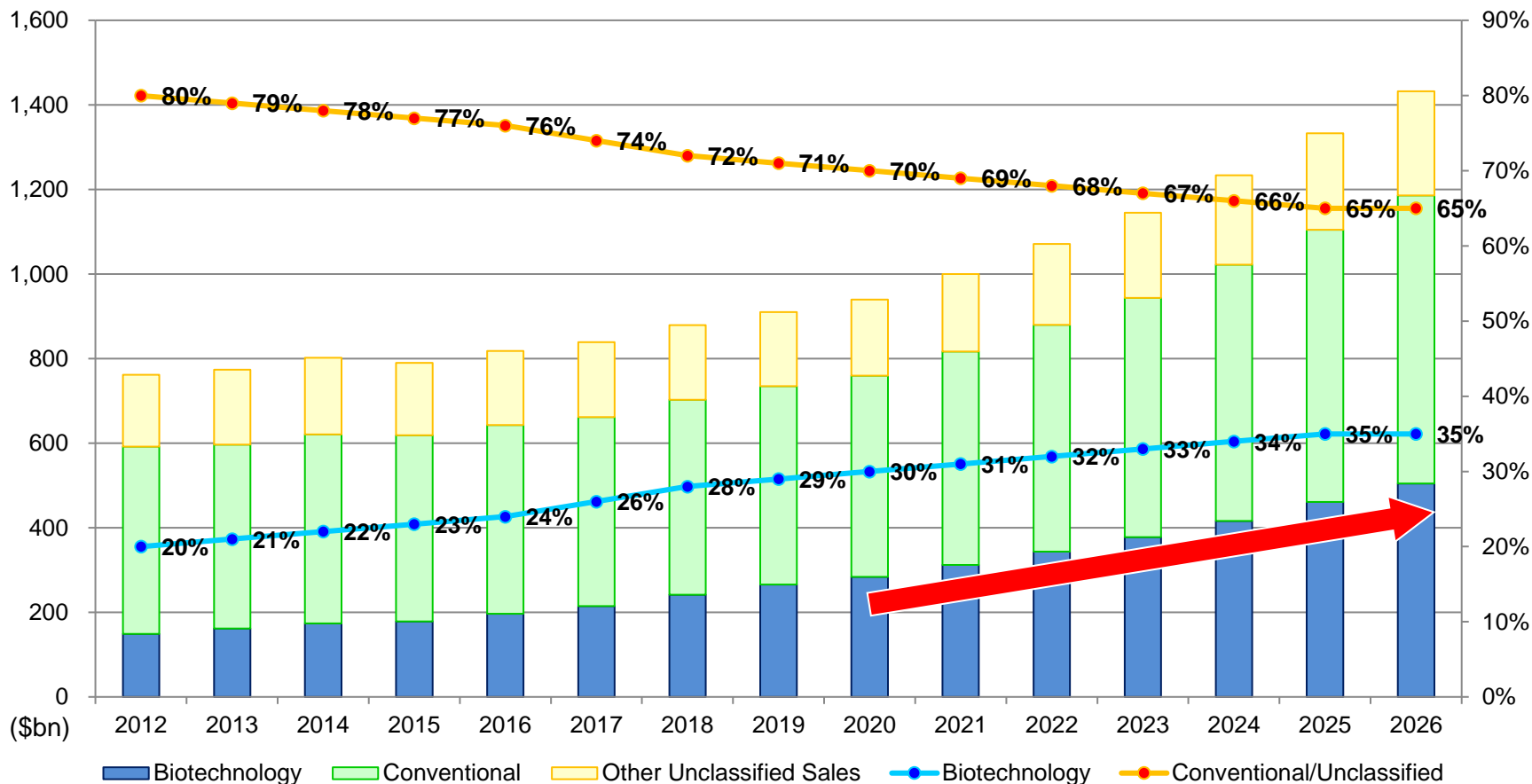
### < アンメット (メディカル) ニーズ >

現状の医療では満たされていないニーズ、すなわち、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、アンメットニーズが存在する疾患は数多くあり、新薬の開発が待たれています。





## Biotechnology（主に抗体医薬）が医薬品市場の伸長をけん引



(出典) : EvaluatePharma® World Preview 2020, Outlook to 2026



## 2020年の医薬品売上高上位10位に7つの抗体医薬品製剤

### 医療用医薬品の売上ランキング（2020年）

NO	製品名	会社名	主な適応疾患	モダリティ	売上高 2020 (百万ドル)	売上高 2020 (億円※)
1	ヒュミラ	アッヴィ/エーザイ	関節リウマチ	抗体	20,389	21,408
2	キイトルーダ	メルク	がん	抗体	14,380	15,099
3	アイリーア	リジェネロン/バイエル/参天	加齢黄斑変性	蛋白質	8,360	8,778
4	ステラール	J&J	乾癬	抗体	7,975	8,374
5	オプジーボ	小野/BMS	がん	抗体	7,888	8,282
6	エンブレル	アムジェン/ファイザー/武田	関節リウマチ	蛋白質	6,346	6,663
7	トルリシティ	イーライリリー	糖尿病	ペプチド	5,377	5,646
8	アバスチン	ロシュ	がん	抗体	5,321	5,587
9	オクレバス	ロシュ	多発性硬化症	抗体	4,612	4,843
10	レミケード	J&J/メルク/田辺三菱	関節リウマチ	抗体	4,511	4,737

赤字：抗体医薬品

青地：蛋白質製剤

※1USD = 105JPYで換算

（出典）：日経バイオテクonlineより一部改変

# 抗体医薬品と低分子医薬品の主な違い



抗体医薬品は、バイオ技術（遺伝子組換え）がもたらした有用な医薬品

	抗体医薬品	低分子医薬品
副作用	正常細胞・組織と疾患細胞・組織とのターゲット特異性の違いを利用しているため、正常細胞・組織を傷つけにくく副作用が少ない	安全な用量で十分な効果を発揮できれば副作用は少ない
効果	疾患のメカニズムや原因物質を根本的に攻撃する事で、根本的治療を狙っている	分子標的薬は疾患のメカニズムや原因物質を根本的に攻撃する事で、根本的治療を狙っている 対症療法（痛みを取るなど）で使用される場合も少なくない
投与方法	原則、注射・点滴剤 原則、通院	注射、経口、経皮等 自宅での服用が可能
持続性	血中半減期が長い =週に1回、月に1回といった投与間隔が可能	比較的短い =1日2-3回、毎日服用
ターゲット特異性	高い（抗体の基本的コンセプト）	比較的低い
製造方法	微生物、動物細胞の培養	化学合成、微生物の培養

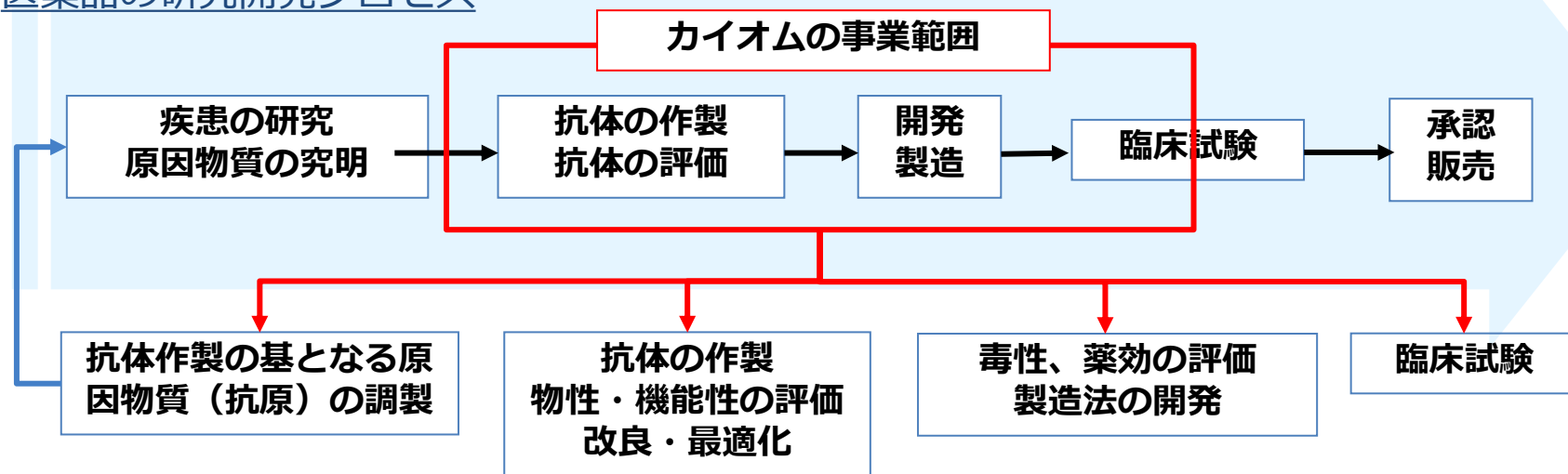
（出典）：シードプランニング社資料等に基づき当社作成



## アンメットメディカルニーズの高い疾患に対する抗体創薬

- 有効な治療法がない難治疾患
- 治療法はあっても有効な薬剤がない疾患
- 有効な薬剤があっても使いにくい、副作用が強い
- 患者さんの数が少なく、大企業が手を出しにくい疾患

### 医薬品の研究開発プロセス



### 当社の研究開発機能

タンパク質調製

抗体作製

創薬研究

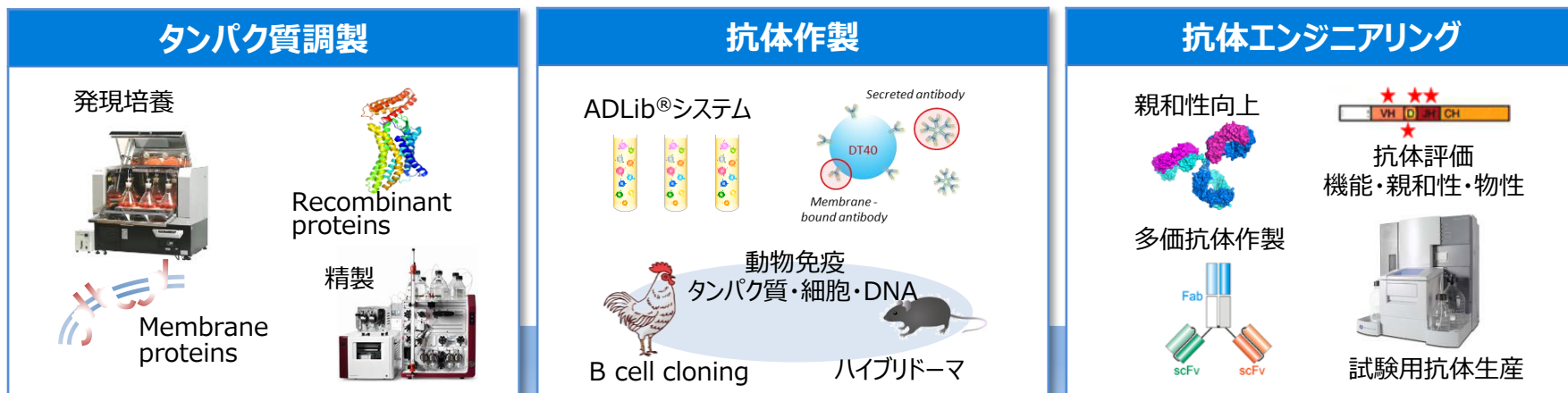
臨床開発

新規抗体創製から初期臨床開発を実施できる研究開発体制を構築

# 事業を支えるコア・コンピタンス



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



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。

### 当社の優位性

技術プラットフォームを活かし創薬事業と創薬支援事業の両ビジネスの推進が可能、持続的な利益の創出へ

創薬事業

成長性を担う事業

創薬支援事業

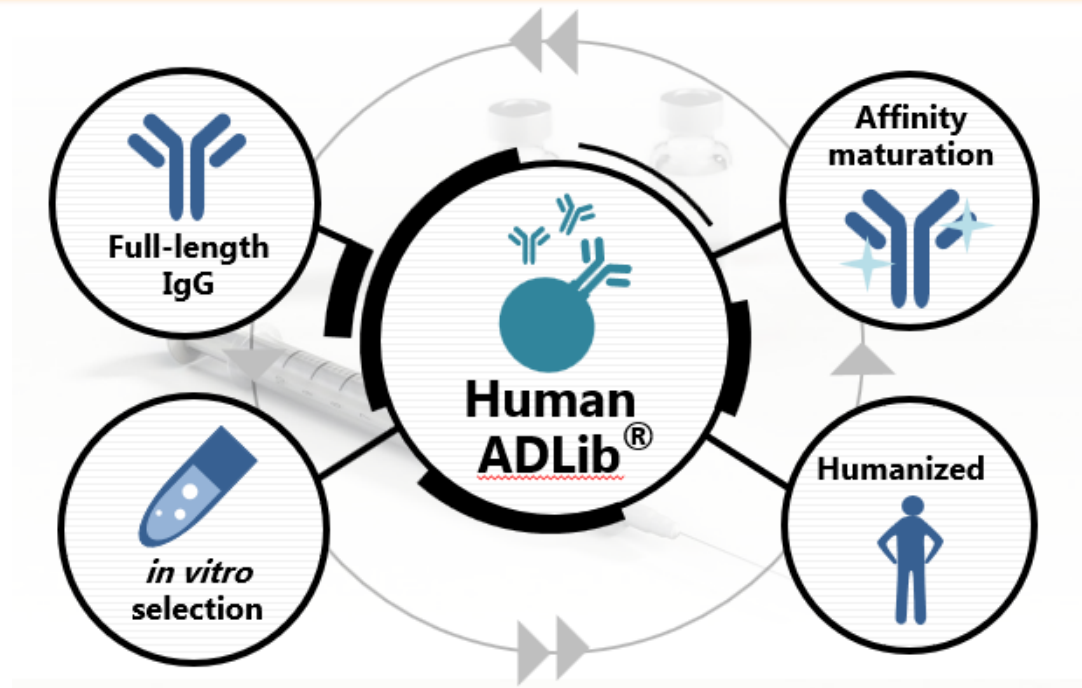
安定的な収益を獲得する事業

# コア技術 : Human ADLib<sup>®</sup> System



## One-stop-order platform for antibody drug discovery

ADLib<sup>®</sup>システムは、ユニークな配列空間を持つライブラリにシームレスなAffinity maturationを加えたユニークなプラットフォームです。1つのプラットフォームでSelection, Full-length IgGの発現、ヒト化、Affinity maturationまでの抗体創薬に必要なステップをすべて完結できる、ワンストップオーダーの創薬・研究のツールです。



ヒトADLib<sup>®</sup>システムの抗体創薬開発における技術の有用性を「Cellular & Molecular Immunology」で公表  
(東京大学大学院総合文化研究科と当社との共同研究成果)

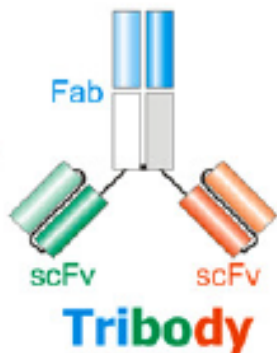
タイトル : Streamlined human antibody generation and optimization by exploiting designed immunoglobulin loci in a B cell line (<https://www.nature.com/articles/s41423-020-0440-9>)

論文のポイント : <https://www.c.u-tokyo.ac.jp/info/news/topics/files/20200527sobunotseo01.pdf>

# コア技術： Tribody™（多価抗体作製技術）



Tribody™

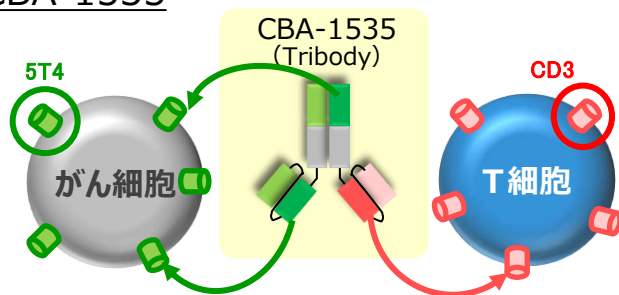


Tribody™は分子工学的手法により作製した複数の抗原に対する特異性を持つ多重特異性抗体で、1つの分子の中に3つの異なる抗原結合部位があり、異なる機能を組み合わせることが可能となる技術。



Tribody技術により医薬品候補物質を創製

CBA-1535



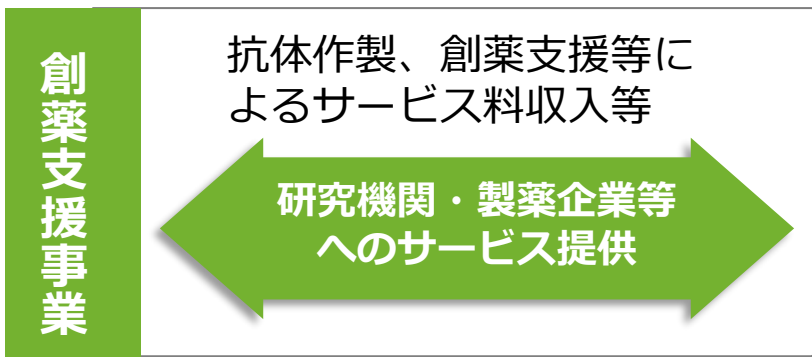
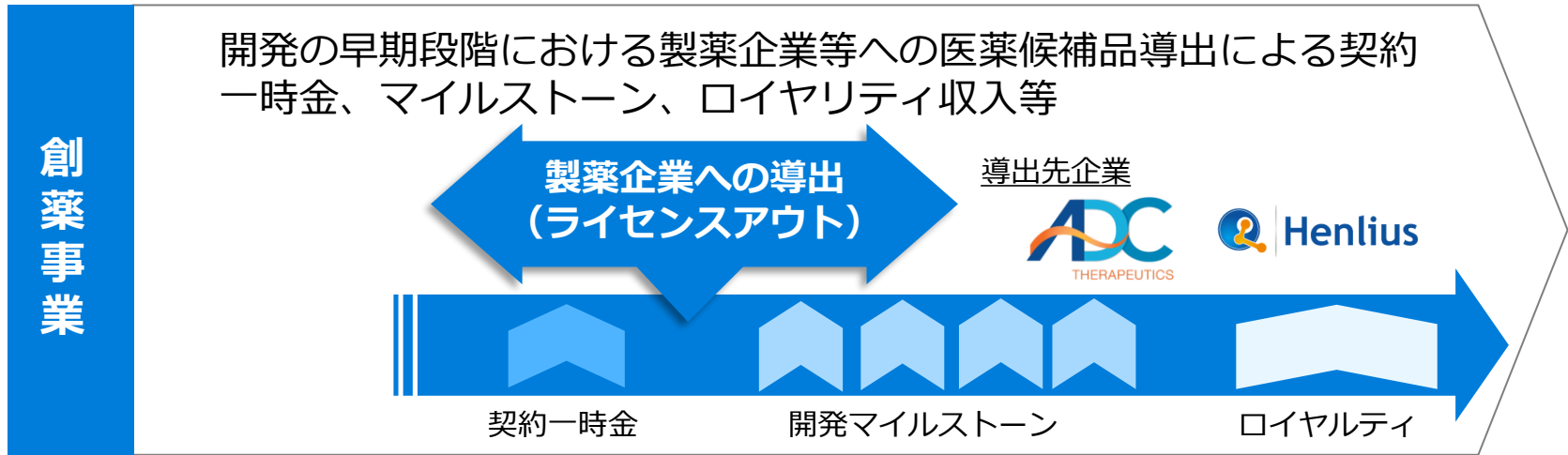
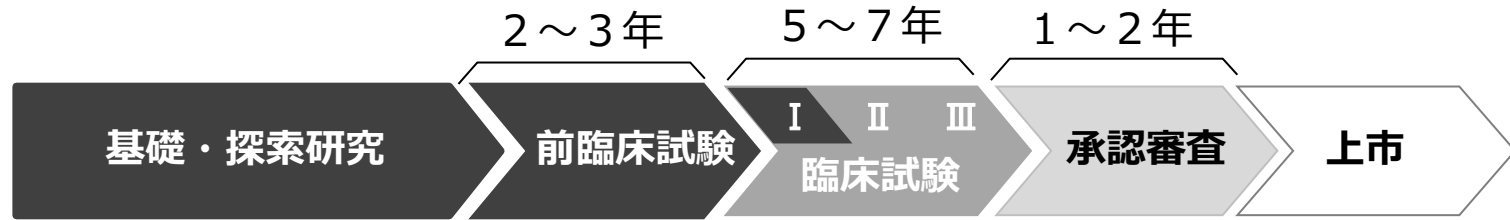
結合部位の1つはT細胞やNK細胞のような抗腫瘍活性を有する免疫細胞(エフェクター細胞)をがん細胞へ誘導するように設計し、残りの2つの結合部位ががん特異的抗原の異なるエピトープに結合、または、同じがんで発現している異なる抗原を認識するように設計することが可能。

結合する分子の組み合わせにより異なる、従来にない特長を有する抗体の創製が可能となります。当社では従来の抗体医薬品よりも安全性及び有効性の高い抗体医薬品の創出に取り組んでいます。



# 収益モデル

## 一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル



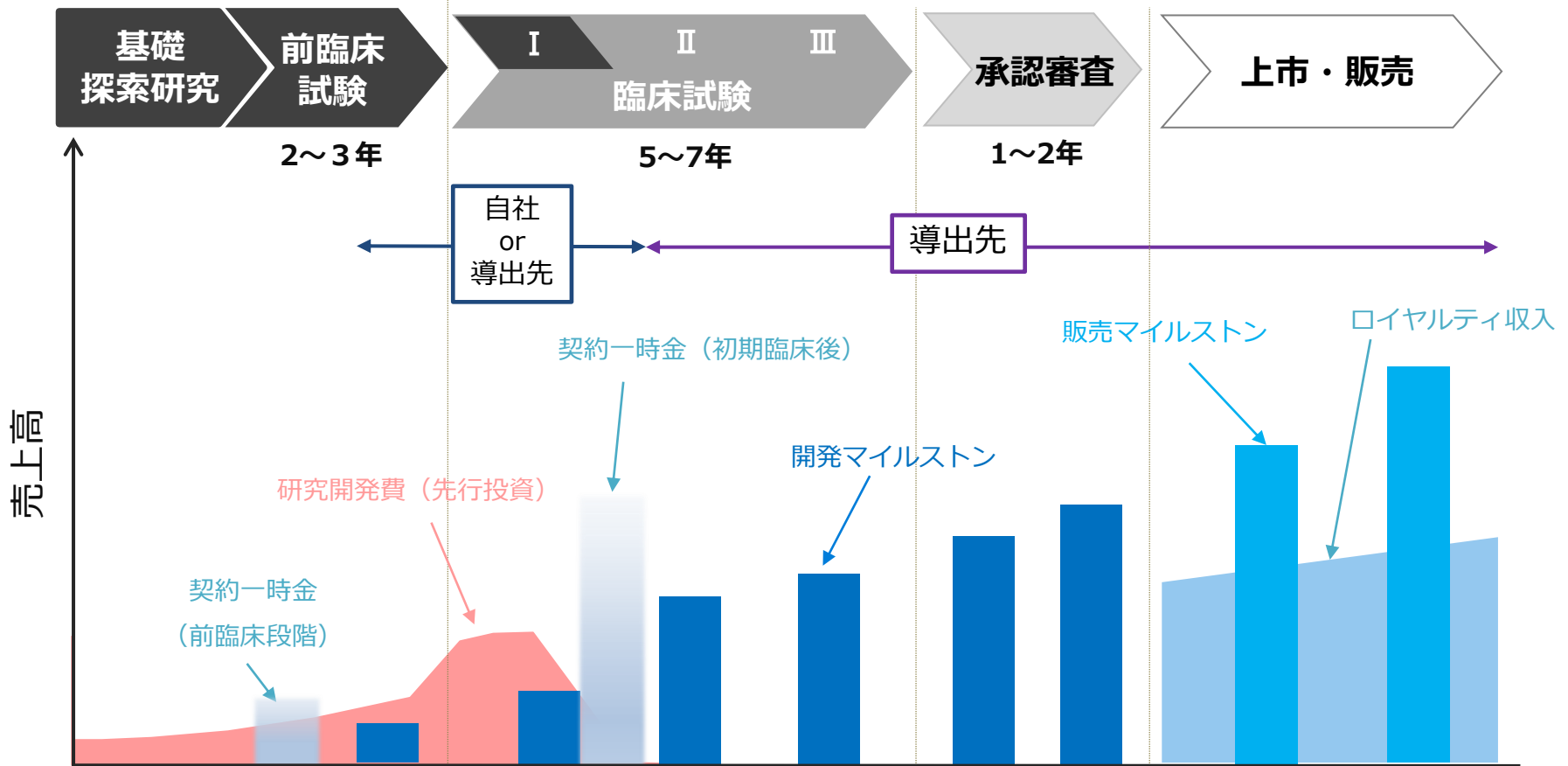
創薬支援事業における主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社	2018年10月
協和キリン株式会社	2019年 7月



# 創薬事業の（一般的な）収益イメージ



ステージの進展に伴い、受領するマイルストンの金額が増大。  
上市後は販売金額に一定料率をかけたロイヤルティも発生。

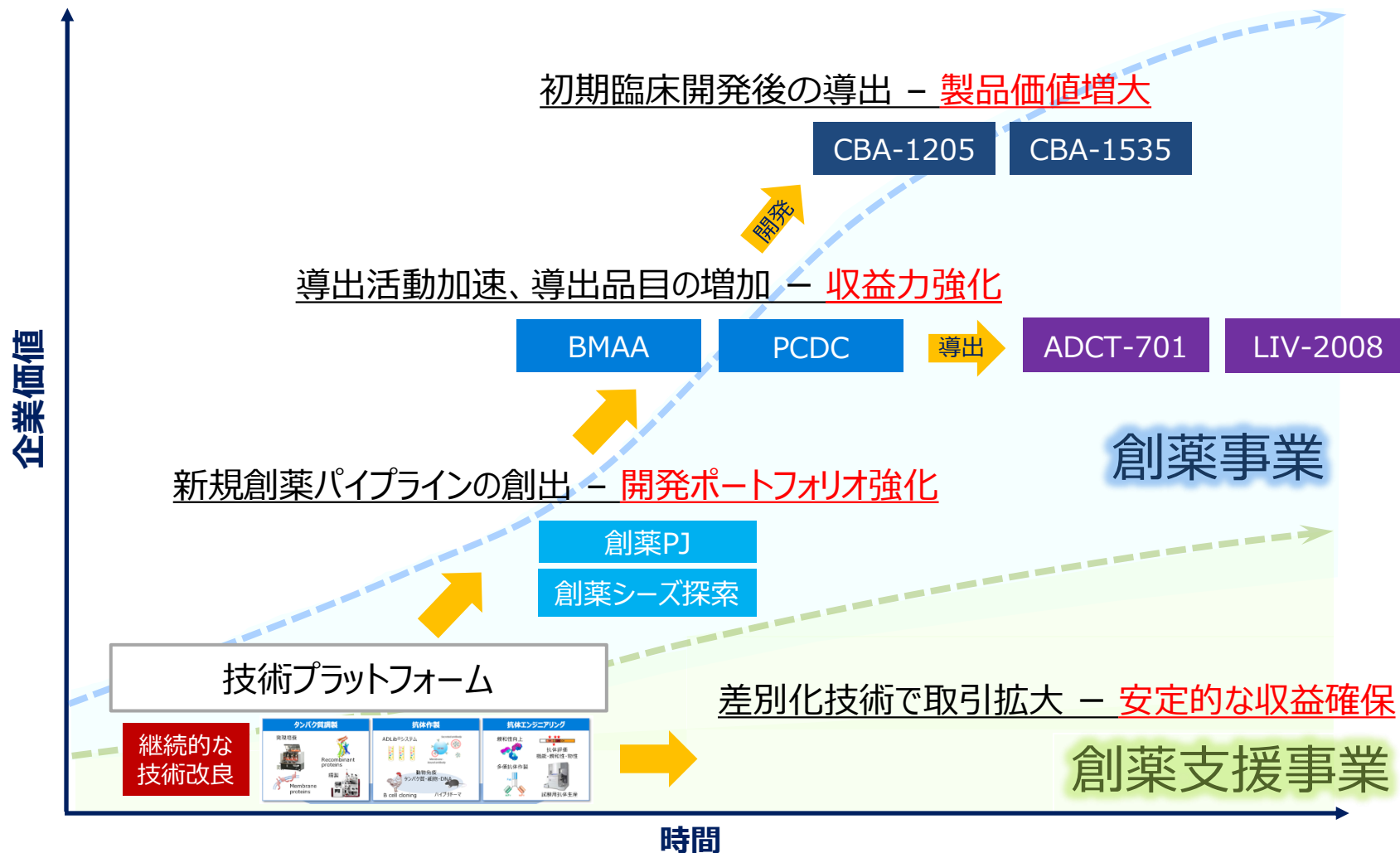


※実際の契約では、その契約ごとに設定されるマイルストンのステージや数、金額、及びロイヤルティの料率が異なります。

# 当社の成長戦略と今後の施策



アンメットニーズに対する抗体医薬品候補を複数創製し、  
製品価値の増大や導出による事業化の拡大に資する取り組みに注力





## (参考) パイプライン紹介

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

<b>特徴</b>	DLK-1を治療標的としたがん治療用抗体LIV-1205とPBD※の抗体薬物複合体（ADC） ※Pyrrolobenzodiazepine：抗腫瘍特性を有する薬物
<b>想定適応疾患</b>	神経芽細胞腫、肝細胞がん、小細胞肺がん等
<b>知財</b>	ヒト化抗DLK-1抗体：日本・米国・欧州・中国他で特許成立。

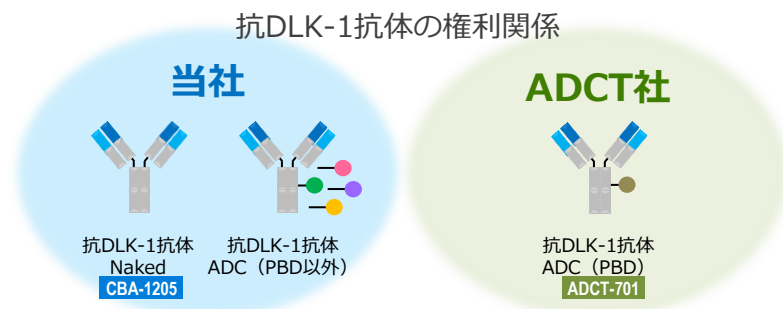
- ✓ ADC Therapeutics社に導出\*。現在、同社でのIND申請に向けて準備中。
- ✓ ADCT-701 は高いアンメットメディカルニーズが存在する神経芽細胞腫、肝細胞がん、小細胞肺がんの治療薬を目指して開発が進められている。

(ADCT社HP：[Our Pipeline - ADC Therapeutics](#))

### \*ADC Therapeutics社との契約

PBDによるADC開発用途に限定して、当社がADCT社に全世界における独占的なサブライセンス権付の開発、製造および販売権を許諾する。

CBA-1205含む抗DLK-1抗体の戦略的開発の柔軟性確保のため、PBDを除くADCの開発権等は当社が保有。



### 米国がん学会（AACR）の年次集会でのポスター発表

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は、DLK-1を発現する癌モデルのin vitroおよびin vivo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://adctherapeutics.com/adctsite/wp-content/uploads/2020/09/Poster\\_701\\_AACR-2018.pdf](https://adctherapeutics.com/adctsite/wp-content/uploads/2020/09/Poster_701_AACR-2018.pdf))

(2018年4月 AACR)



## LIV-2008/2008b（ヒト化抗TROP-2モノクローナル抗体） 標的分子：TROP-2

想定適応疾患	乳がん（TNBC）、大腸がん、膵がん、前立腺がん等
期待	TROP-2は、正常組織に比べ、乳がん、大腸がんのほか、膵がん、前立腺がん、肺がん等の複数の固形がんにおいて発現が増大しており、がんの悪性度に関連していることが報告されている分子。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許成立。

✓ 2021年1月 Shanghai Henlius Biotech社とのライセンス契約を締結

中華人民共和国、台湾、香港およびマカオにおける開発、製造および販売権を当社がHenlius社にサブライセンス権付きで許諾。全世界における権利についてはオプション権を付与。

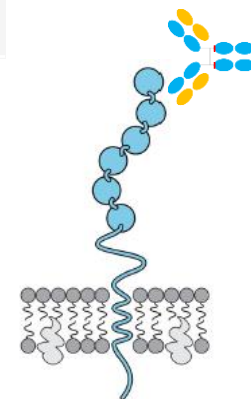
(Henlius社HP：[HKEX-EPS 20210114 9583899 0.PDF \(windows.net\)](#))



## CBA-1205 (ADCC活性増強型 ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体) 標的分子：DLK-1

ファーストインクラス

特徴	肝細胞がん等に特有のDLK-1というタンパク質を見分けて攻撃するがん治療用抗体。
ADCC活性	糖鎖改変技術：GlymaxX (ProBioGen)
想定適応疾患	難治性の癌腫である肝細胞がん、肺がん等
期待	DLK-1は幹細胞や前駆細胞のような未熟な細胞の増殖・分化を制御し、これまでに肝臓がんをはじめとする複数のがん細胞表面においても発現し、その増殖に関与していることが明らかとなった新しいがん治療の標的になる可能性がある分子。競合品のないファーストインクラス候補抗体。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許成立。



- ✓ 2020年3月に国内での初回治験計画届を提出、7月に国立がん研究センター（中央病院・東病院）と治験実施に関する契約締結したのち患者さんへの投与開始。患者さんでの安全性を確認した後、有効性の検討へ。

### 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を提供する。

米国がん学会 (AACR) の年次集会でのポスター発表

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

(ポスター資料：<https://www.abstractsonline.com/pp8/#!/6812/presentation/2425>) (2019年4月 AACR)



患者数※1	840,000人（2018年） 毎年約84万人が新たに発症 肝臓がんは世界のがん関連死亡原因の第2位 アフリカ、アジアで罹患率が高い傾向
DLK-1の発現※2	肝がん患者の約20%、小細胞肺がんの患者の50%発現
標準治療※3	治療の中心は外科的療法 1. 外科療法：患部の切除 2. 局所療法：エタノール注入療法やラジオ波焼灼療法 等 3. 冠動脈塞栓術  外科手術後、切除不能な進行性肝細胞がんに対して薬物治療を実施
競合品	ネクサバル®、レンビマ®、テセントリク® - アバスチン®
マーケット	2020年9月、抗PD-L1抗体と抗VEGF抗体の併用療法が承認された。

※1: <http://www.wcrf.org/int/cancer-facts-figures/data-specific-cancers/liver-cancer-statistics>

※2: J. Biochem.: 148, 85-92 (2010)

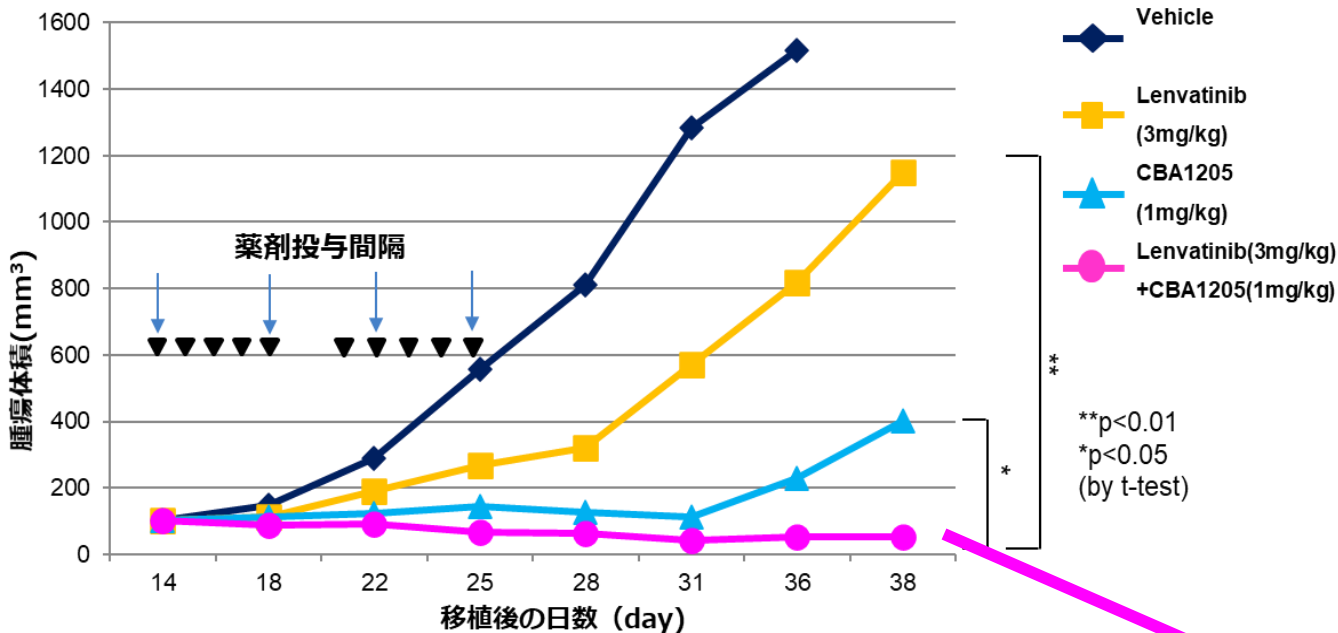
※3: <https://ganjoho.jp/public/cancer/liver/treatment.html>



特許情報「CBA-1205とレンバチニブの併用」  
 ~レンバチニブの併用により持続的・強い腫瘍増殖抑制及び腫瘍縮小効果を発揮~

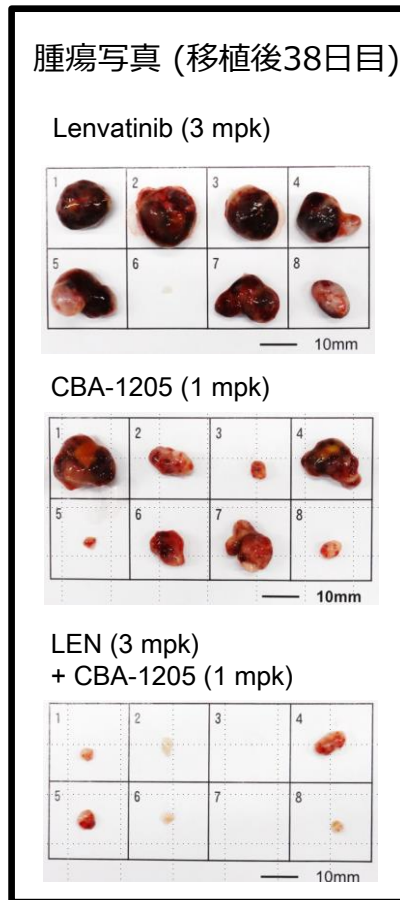
公開番号 WO/2020/204033

## 肝癌ゼノグラフトモデル（Hep3B）での併用効果



### 薬剤投与形態及び投与間隔

CBA-1205：腹腔内投与 週2ペースで計4回  
 Lenvatinib：経口投与 週5ペースで計10回



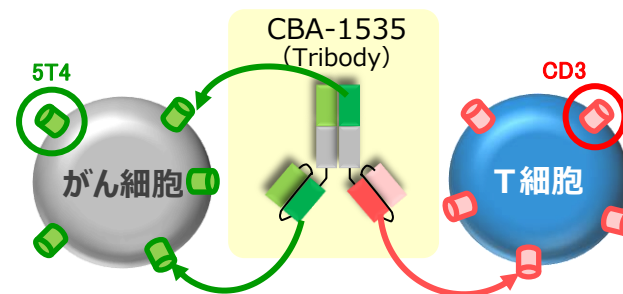




## CBA-1535（ヒト化抗5T4・抗CD3二重特異性抗体） 標的分子：5T4×CD3×5T4

経緯	3つの分子を認識するTribody技術を用いて創製したがん治療用抗体
想定適応疾患	悪性中皮腫、小細胞肺がん、非小細胞肺がん、トリプルネガティブ乳がん(TNBC)等
期待	臨床標的としての安全性が確認されている既知（公知）のがん抗原5T4と免疫細胞であるT細胞上のタンパク質CD3を標的とする多重特異性抗体。T細胞の増殖と活性化を誘導して強力な細胞傷害活性を発揮する（T Cell engager抗体）。Tribodyとしては初めての臨床開発品目であり、難治性がんに対する薬効が期待される。
知財	日本・英国・米国で特許成立。欧州・中国他で特許出願中

- ✓ スイスのCelonic社（CMO）へ治験薬製造のための技術移管、原薬及び製剤の試験製造を終了
- ✓ 2021年末以降に英国での臨床試験許認可（CTA）申請を見込むが、英国・欧州における新型コロナウイルス感染拡大が臨床試験実施に与える影響の確認、国内での臨床試験実施を検討中。



### 解決すべきアンメットニーズ

薬剤治療の選択肢が少なく、予後の悪い悪性中皮腫を始めとした固形がんに対する有効な治療薬を提供する。



## BMAA（ヒト化抗セマフォリン3Aモノクローナル抗体）

標的分子：SEMA3A

ファーストインクラス

経緯	当社独自の抗体作製技術ADLib®システムで取得した抗セマフォリン3A抗体をヒト化した抗体。 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。
想定適応疾患	糖尿病黄斑浮腫（DME）、他
期待	DMEに対して唯一使われている抗血管新生薬（抗VEGF薬：アイリーア、ルセンティス）よりも早い段階でDMEの発症を抑える薬剤。
知財	日本・米国・欧州で特許成立。

- ✓ 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。SemaThera社がオプション権行使の判断にはまだ時間を要すること、当社での独自の研究開発活動及び事業機会を確保することを目的とし、両者合意の上で本契約を終了（2021年5月14日公表）。
- ✓ 今後は当社がセマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた研究開発と事業開発を検討。

### 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黄斑浮腫に対し、従来と異なるメカニズムに基づき抗血管新生薬よりも早い段階でDMEを抑える新たな薬剤の提供。

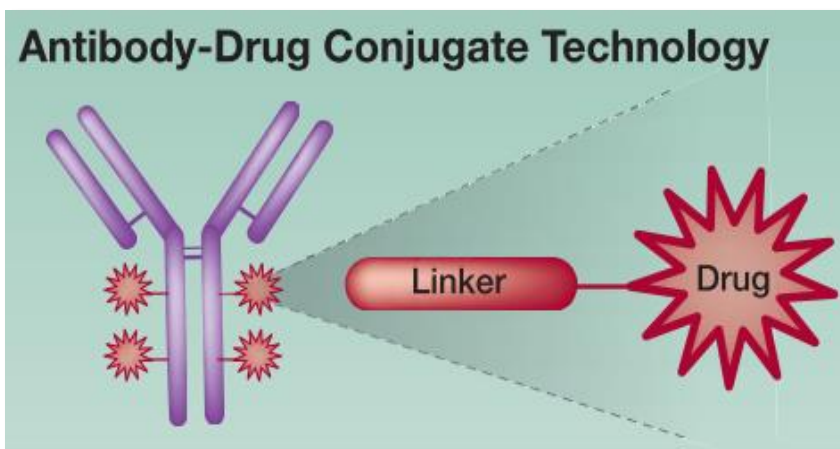
## PCDC : Target-Xに対する抗体薬物複合体（ADC）用抗体

ファーストインクラス

- Target-X : First-in-classとなる標的分子。標準治療耐性のがん種を含む幅広い固形がんで発現（肺、結腸直腸、膵臓、乳、卵巣がんなど）。
- 抗Target-X ヒト化抗体：結合特性および毒性プロファイルに基づく、広い有効域&安全域が期待される



### 特許出願済、ADC用途を中心に導出活動を開始



要素	好ましい性質
ターゲット	✓ がん特異性が高い（がん細胞に反応し、正常な細胞に反応しない）
抗体	✓ 細胞内に迅速にとりこまれ、リソソームで分解される
リンカー	✓ 安定で非特異的な分解が少ない
結合方法	✓ 均一性が高い（抗体の特定の部位にのみ結合している）
薬物	✓ 少量で細胞傷害活性が高い



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。
多重特異性抗体	抗体のタンパク質構造を改良・応用して、より有効性の高い創薬につなげるための技術のひとつ。通常は一つの標的しか認識することができない抗体を改変して、一つの抗体分子が複数の異なる標的に結合できるようにした抗体のこと。二つの抗原に結合するバイスペシフィック抗体や、さらに抗原結合部位を増やしたマルチスペシフィック抗体などがある。
治験計画届	医薬品医療機器等法において、保健衛生上の見地から治験の実態を把握し、治験の安全性を確保するため、治験依頼者はPMDAを通して厚生労働省に治験計画書を届け出ることが義務付けられている。最初の届出（初回治験計画届）は、PMDAにおいて30日の調査が行われ、その結果が厚生労働省に報告される。
ハイブリドーマ法	抗原を免疫した動物から抗体を作り出すB細胞を取り出し、増殖し続ける能力を持った特殊な細胞（ミエローマ）と融合させて抗体を作り続ける細胞（ハイブリドーマ）を作製する方法。
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。
リード抗体	ADLib <sup>®</sup> システム、ハイブリドーマ法、B cell cloning法などの様々な手法で作製した抗体の中から、親和性、特異性、生物活性、安定性などのスクリーニングによって見出されたヒット抗体群の中から、医薬品になる可能性を有する抗体群をリード候補抗体と呼び、これらのリード候補抗体群のうち、医薬品としてその後の最適化などのステージに進めるための抗体をリード抗体と呼ぶ。
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ると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は副作用が少なく効き目の強い薬剤となる可能性がある。



用語	説明
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試験管内で迅速にヒト抗体を作製するためのプラットフォーム。
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。
CMC	Chemistry, Manufacturing and Control の略称で、医薬品等の原薬・製剤の化学・製造およびその品質管理を指す。
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。
GLP	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。安全性評価試験の信頼性を確保するため、試験施設が備えるべき設備、機器、組織、試験の手順等について基準を定めたもの。
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。
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ブレッサー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。