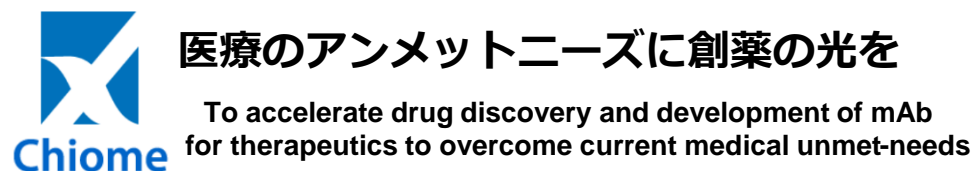




証券コード：4583

2022年12月期第3四半期 決算補足資料

2022年11月14日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



1. 2022年12月期第3四半期 業績

2. 2022年12月期第3四半期 事業進捗

(参考)

事業概要

パイプライン紹介



2022年12月期第3 四半期 業績

損益計算書



| (百万円) | 2021年12月期 3Q | 2022年12月期 3Q | 増減 | 増減の主な理由等 |
|-----------|-----------------|-----------------|------|---------------------|
| 売上高 | 541 | 433 | △107 | |
| (創薬事業) | 103 | 0 | △103 | 21年12月期は導出契約一時金を計上。 |
| (創薬支援事業) | 438 | 433 | △4 | |
| 売上原価・販管費 | 1,392 | 1,473 | 80 | |
| (研究開発費) | 860 | 916 | 56 | CBA-1535CMC費用の計上。 |
| (その他) | 532 | 556 | 24 | |
| 営業損失 (△) | △850 | △1,039 | △188 | |
| 経常損失 (△) | △843 | △1,029 | △186 | |
| 当期純損失 (△) | △842 | △1,027 | △184 | |

貸借対照表



| (百万円) | 2021年12月期末 | 2022年12月期 3Q末 |
|----------|------------|---------------|
| 流動資産 | 2,216 | 1,955 |
| （現預金） | 1,790 | 1,592 |
| （その他） | 425 | 363 ① |
| 固定資産 | 122 | 125 |
| 資産合計 | 2,339 | 2,081 |
| 流動負債 | 392 | 376 |
| 固定負債 | 53 | 54 |
| 負債合計 | 446 | 431 |
| 純資産合計 | 1,893 | 1,650 |
| 負債・純資産合計 | 2,339 | 2,081 |

【貸借対照表に関する説明】

①CBA-1535の治験薬の製造完了に伴い、前渡金を取り崩し当期費用に計上。



2022年12月期第3 四半期 事業進捗



CBA-1205前半パートでは標準療法に不応な患者さんにおいて、途中経過ではSD（安定）評価が続き7ヶ月以上投与が継続されている患者さんを複数確認

Tribody™で初めてとなるCBA-1535臨床第1相試験の投与を開始

新たな分子の組み合わせにより強活性のTribody™抗体を創成
「5T4×CD3×PD-L1」を標的とするPTRYを新規パイプライン化

PCDCに結合させるADC用薬物にアマニチンを追加
(Heidelberg社から技術導入)

ロート製薬とオプション権付委受託契約締結



創薬事業 - 自社パイプライン

CBA-1205

ヒト化抗DLK-1
モノクローナル抗体

- ✓ CBA-1205の臨床第1相試験前半パートの登録が終了。肝細胞がん患者さん対象の後半パートに移行。
- ✓ 後半パートにおいて、肝細胞がん患者さんへの投与が進展。

CBA-1535

ヒト化抗5T4・抗CD3
多重特異性抗体

- ✓ 2022年2月16日付けで医薬品医療機器総合機構（PMDA）に治験計画届を提出、同年6月から固形がん患者さんへの投与が始まる。
- ✓ 治験実施施設は国立がん研究センター中央病院および静岡がんセンター。

PCDC

ヒト化抗CDCP1
モノクローナル抗体

- ✓ ADC用途を中心とした導出活動を推進中。ADCの搭載薬物にアマニチンを用いたデータパッケージも導出活動に投下。

創薬PJ

- ✓ Tribody™の新規創薬プロジェクト「PTRY」に関連する特許出願および論文を公表。

創薬事業 - 導出品

LIV-2008

導出品

ヒト化抗TROP-2
モノクローナル抗体

- ✓ 導出先のHenlius社は、今後のIND申請に向けて複数の開発プランを検討中。

導出品

ADCT-701

- ✓ ADCT社は米国国立がん研究所（NCI）と神経内分泌がんを対象とした臨床試験を準備中。



創薬支援事業

製薬企業との取引

- ✓ 既存顧客との取引の深耕化に加えて、新規製薬企業との取引に向けた営業活動を実施。2022年7月11日付でロート製薬との新たな契約締結（オプション権付委受託契約）。
- ✓ 富士レビオからADLib®抗体を用いて開発する診断薬キット発売。

その他

コア技術

ADLib®/Tribody™

- ✓ 論文公表
 - Tribody™技術を利用したがん免疫療法に関する研究成果
<https://www.mdpi.com/1422-0067/23/7/3466>
<https://jeccr.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13046-022-02474-3>
 - ADLib®システムを用いた抗体親和性向上に関する研究成果
<https://www.tandfonline.com/doi/full/10.1080/19420862.2022.2122275>
- ✓ 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成事業に参画（感染症領域の研究、ADLib®システム技術改良）。感染症領域の研究で2022年度は1,600万円の助成金収入を獲得。
- ✓ ADLib®特許査定
 - 抗体可変領域の多様化を促進する方法に関する特許（日本）
 - 抗体の取得方法（欧州）

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 | 臨床第1相試験 | 導出先 |
|----------------------------|--------|-------------|------|-------|---------|-------------|
| ADCT-701 (LIV-1205 ADC) | DLK-1 | がん (ADC) | → | | | 2017.9~ |
| LIV-2008 /2008b | TROP-2 | がん | → | | | 2021.1~ |

自社開発品

★ ファーストインクラス
★★ 世界初の創薬モダリティでの臨床入り

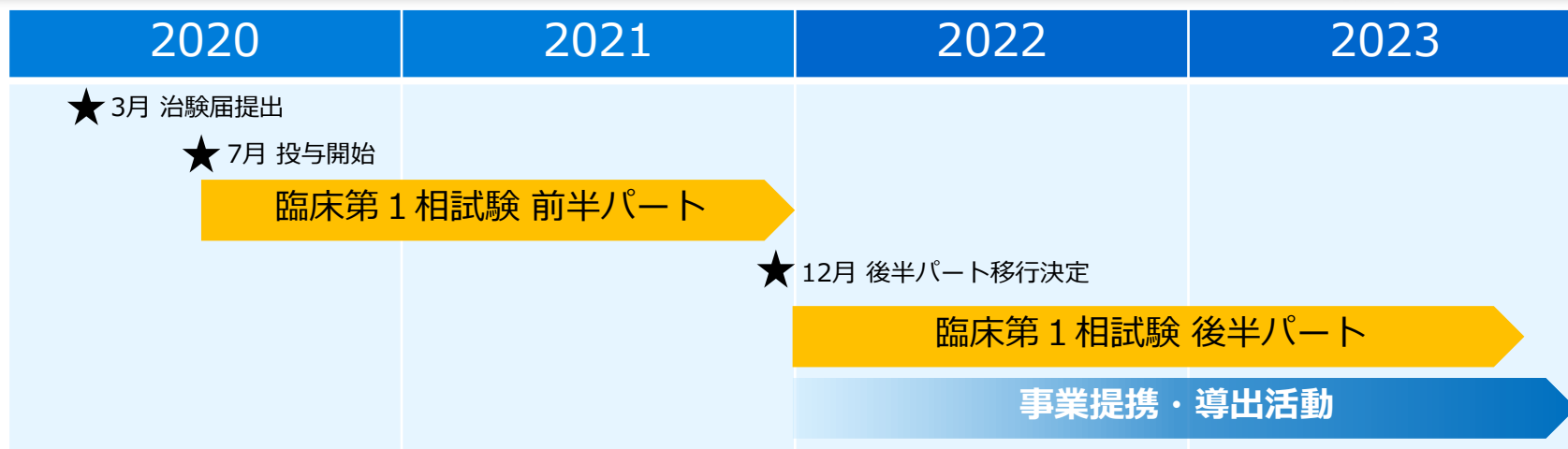
| 開発コード | 標的分子 | 疾患領域 | 創薬研究 | 前臨床試験 | 臨床第1相試験 | ステータス |
|-------------------------------|-----------------|------|------|-------|---------|--------|
| ★ CBA-1205 (ADCC enhanced) | DLK-1 | がん | → | | | 第1相試験中 |
| ★★ CBA-1535 (Tribody™) | 5T4×CD3 ×5T4 | がん | → | | | 第1相試験中 |

導出候補品及び創薬プロジェクト

| 開発コード | 標的分子 | 疾患領域 | 創薬研究 | 前臨床試験 | 臨床第1相試験 | ステータス |
|------------------------------------|-------------------|--------------------|------|-------|---------|-----------------------------|
| ★ PCDC | CDCP1 | がん (ADC) | → | | | 導出活動中 |
| New PTRY | 5T4×CD3 ×PD-L1 | がん | → | | | 特許出願完了 新規パイプライン化 |
| ★ BMAA | SEMA3A | 非開示 | → | | | 導出活動中 |
| 創薬PJ/ 探索研究 (常時10テーマ 程度進行) | 非開示 | がん/中枢神経 自己免疫疾患他 | → ※ | | | ※がん領域の重点PJにおいて新規特許 出願が完了 |



前半パートの登録が終了、 肝細胞がん患者さん対象の後半パートの症例登録が進展



試験 デザイン

前半パート

- 対象：固形がん患者さん
- ・低用量から段階的に投与
 - ・安全に投与できる最大量を求める
 - ・当初計画より高用量での投与群の追加

・高い安全性を確認

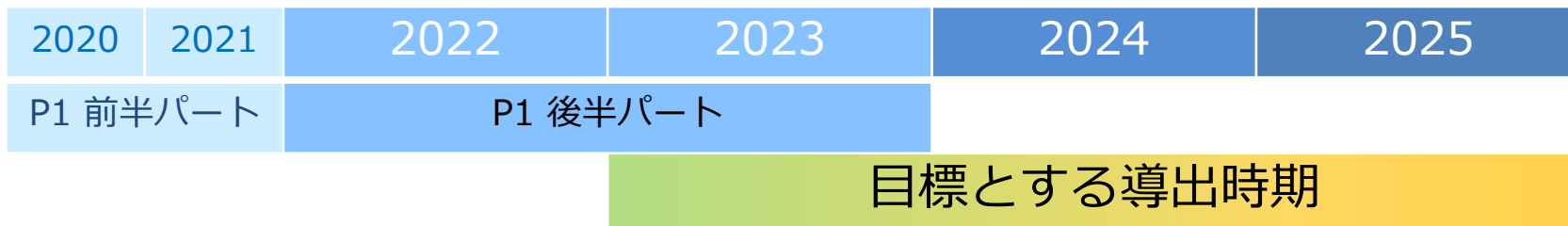
- ・標準治療に不応な固形がん患者さんにおいて、途中経過ではSD（安定）評価が続き7ヶ月以上投与が継続されている患者さんを複数確認。

後半パート

- 対象：肝細胞がんの患者さん
- ・前半パートでの最大量を参考に、肝細胞がん患者さんの臨床試験における最適な投与量を確認する（至適用量を求める）。
 - ・安全性と初期の薬効シグナルを評価

後半パートでの薬効シグナルの確認が
早期導出の鍵となる

CBA-1205 導出方針



導出候補：2つのグループを想定

**早期に開発パイプライン
を拡充したい企業群**

**事業性、成功確率を
重視する企業群**

想定される評価・検討ポイント

- 1st-in-class (先行品無し)
- ヒトでの高い安全性
- 主要地域で特許成立
- 製造法確立、治験申請用資料

- 患者さんでの奏効率
- バイオマーカー
- 他剤との比較、優位性
- がん種の拡大、事業性

導出一時金 ≤ 導出一時金



早期導出 or P1終了後の導出により単年度黒字への期待



CBA-1535臨床第1相試験の投与を開始



| 試験デザイン | 前半パート (単剤) 対象：固形がん患者さん | 後半パート (がん免疫療法薬との併用) 対象：固形がん患者さん |
|--------|--|---|
| | <ul style="list-style-type: none"> 低用量から段階的に投与し、安全に投与できる最大量を求める 初期の薬効シグナルを評価 | <ul style="list-style-type: none"> 前半パートで安全性が確認できた用量から段階的に投与 がん免疫療法薬 (IO) と安全に併用できる最大用量を求める 併用での初期の薬効シグナルを評価 |

本開発計画の狙い

- 第1相試験時点からIOとの併用を実施することで、CBA-1535が臨床ニーズを満たす安全性及び有効性を期待できるかを最速で確認することを目的とした開発計画。
- 本試験での安全性の確立が T cell engagerとしてのTribody™創薬の一里塚となる。

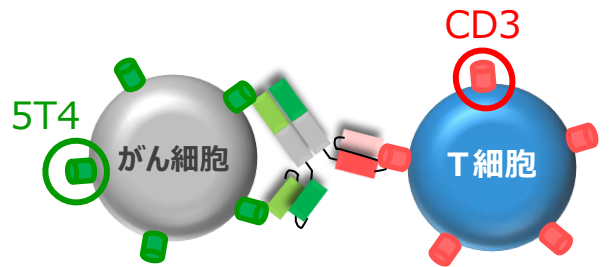


Tribody™の応用可能性

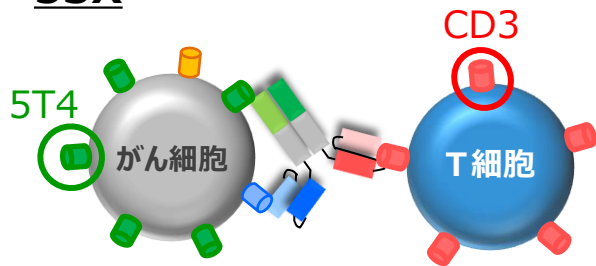
結合する標的や結合する手の数の組み合わせにより、

- 1) 通常の抗体以上の効果、
- 2) 複数薬剤の併用投与⇒1剤の投与（患者さんのQOL、医療経済的メリット）等が期待される。

CBA-1535（第1相試験中）

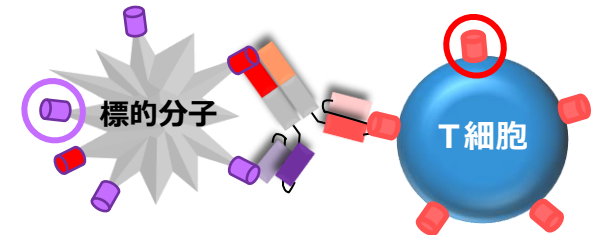


53X

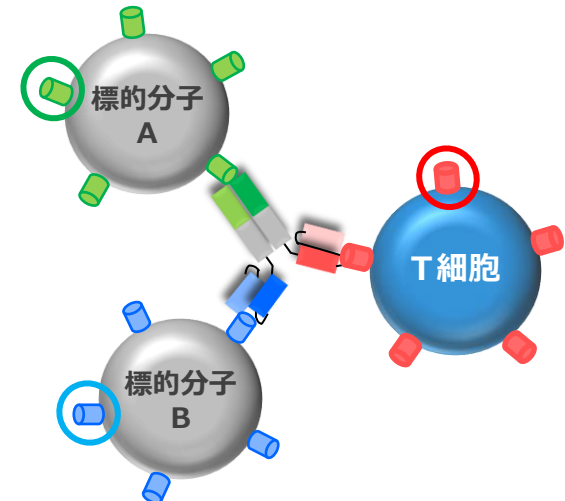


次世代型CBA-1535

新規開発候補品



5T4以外の標的



結合する標的の数、
組み合わせを自由
に変える

PTRY 新規パイプライン



PTRY (ヒト化抗5T4・抗CD3・抗PD-L1多重特性抗体) 標的分子：5T4×CD3×PD-L1

特徴

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。抗原結合部位の標的を①固形がんに発現が認められる 5T4②免疫細胞である T 細胞上の CD3③免疫チェックポイント阻害に関与する PD-L1 としたがん治療用抗体

想定適応疾患

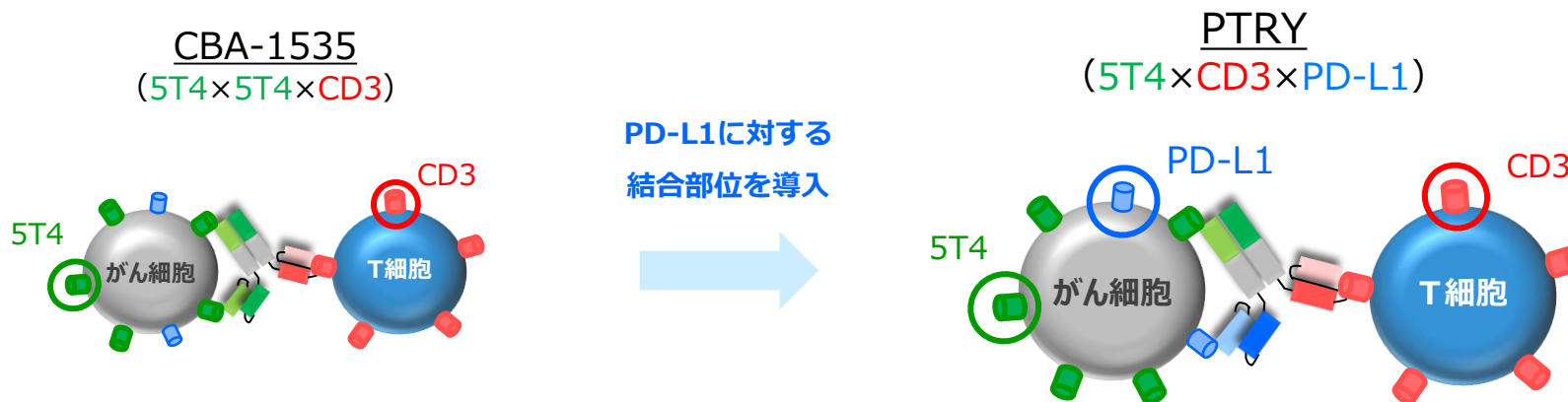
悪性中皮腫、小細胞肺がん、非小細胞肺がん、トリプルネガティブ乳がん(TNBC)等

期待

従来のがん免疫療法では十分に効果が期待できなかった患者さんへの新たな治療薬としての開発に期待。また、薬価抑制による医療経済への貢献にも有用と期待。

知財

特許出願を完了



イタリアの公的研究機関Ceinge-Biotecnologie Avanzateと行ったがん免疫療法に関する共同研究の成果が、国際的な学術雑誌であるJournal of Experimental & Clinical Cancer Research誌に掲載。
[Novel tri-specific tribodies induce strong T cell activation and anti-tumor effects in vitro and in vivo | Journal of Experimental & Clinical Cancer Research | Full Text \(biomedcentral.com\)](#)



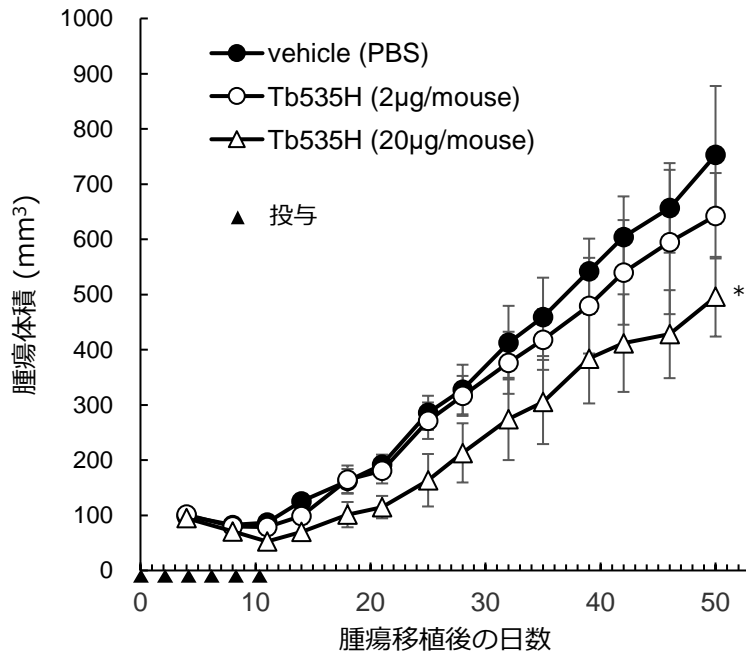
PTRY in vivoモデルでの薬効

5T4×CD3×PD-L1の組み合わせで強い腫瘍増殖抑制効果を発揮

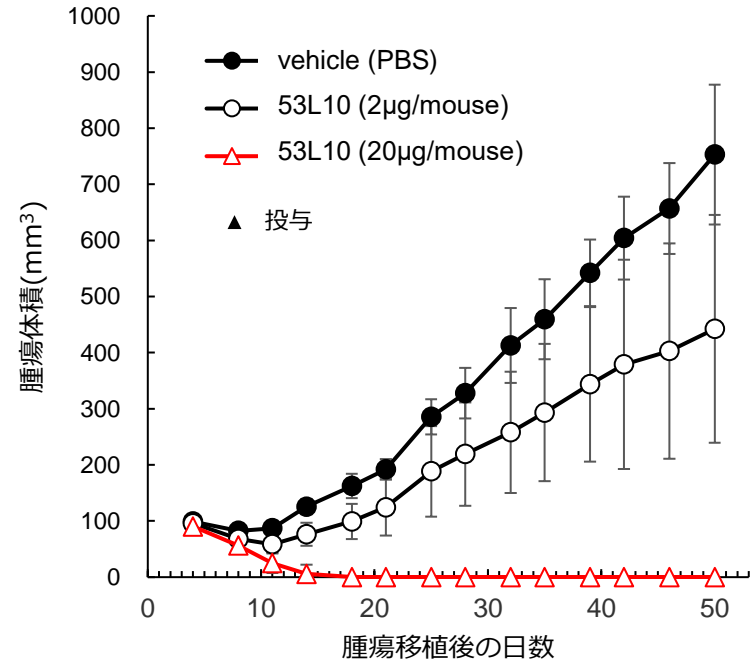
〈肺がんモデルでのin vivo薬効データ〉

Passariello et al. J Exp Clin Cancer Res (2022) 41:269

Tb535H = CBA-1535
(5T4×5T4×CD3)



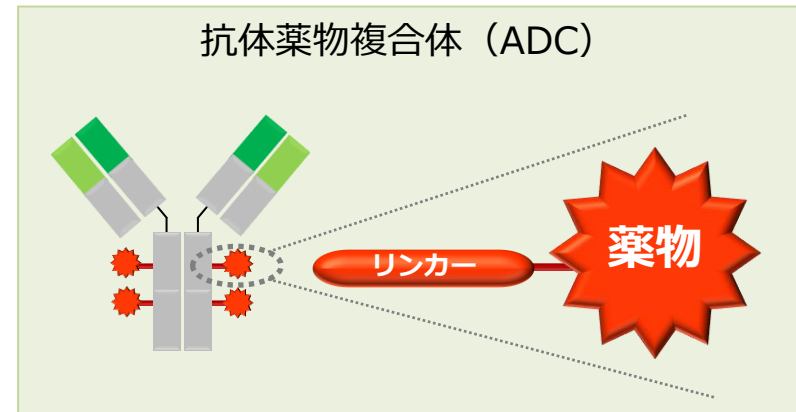
53L10 = PTRY
(5T4×CD3×PD-L1)



CBA-1535の次世代型パイプラインとして、今後の開発・導出に注力

ADCの搭載薬物としてアマニチンを技術導入

- ✓ 独Heidelberg Pharmaからアマニチンの技術導入。アマニチンはキノコ由来の毒素でRNAポリメラーゼⅡを阻害することで腫瘍抑制効果を発揮する。
- ✓ アマニチンの特徴と期待
 - ・ 高い薬効と既存ADC薬剤抵抗性がんへの効果
 - ・ 既存ADCに認められる血液毒性/神経毒性/眼毒性が低い



※Heidelberg Pharma HP (<https://heidelberg-pharma.com/en/research-and-development/adc-technology>)

PCDCの導出戦略・ターゲット

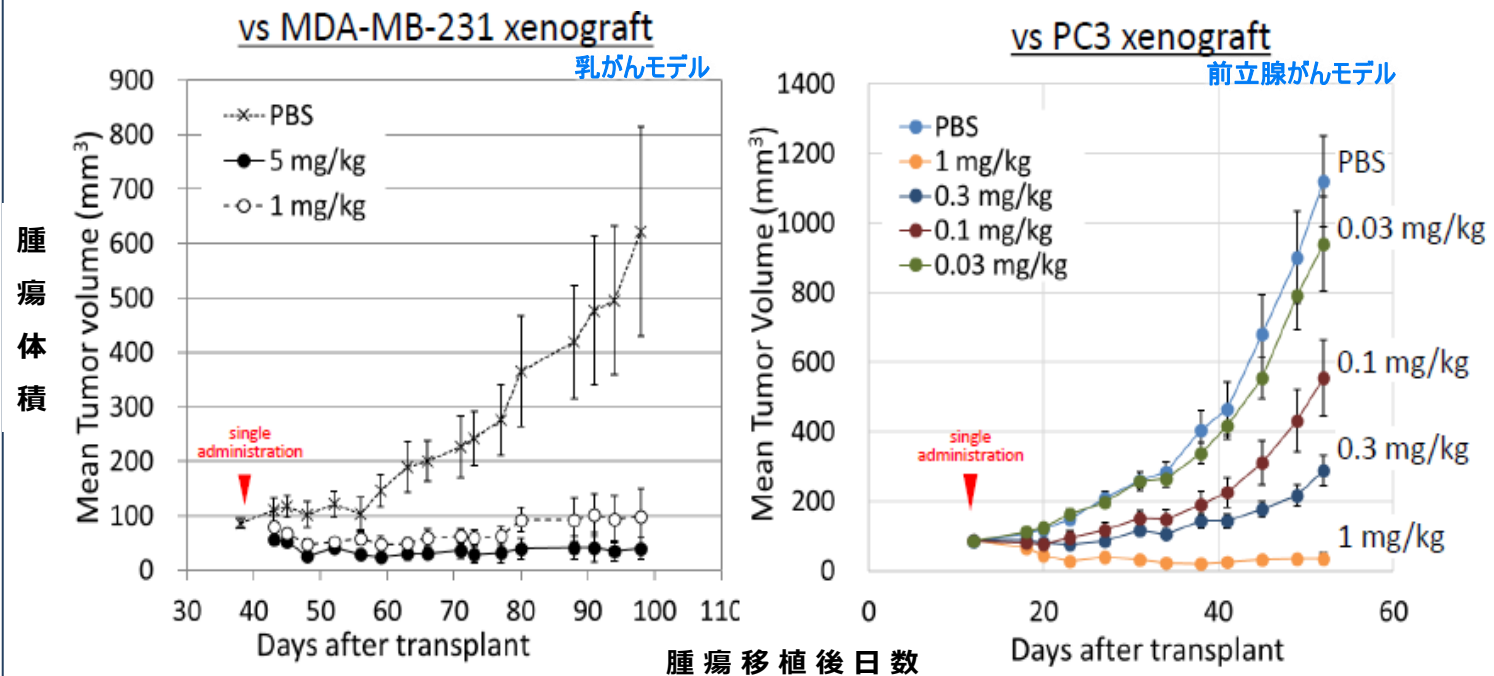
導出候補先企業として、2つの企業群にアプローチ

- ①独自のADC技術を保有し当社の抗CDCP1抗体そのものが欲しい製薬企業
- ②抗CDCP1抗体のADCが欲しい製薬企業



PCDCとアマニチン※を結合したADC抗体において高い抗腫瘍活性を確認

In vivo efficacy of h14A043-ATAC



h14A043-ATAC was single administrated to MDA-MB-231 and PC3 xenograft mice when mean tumor volume reached 100 mm³. Single administration of h14A043-ATAC at 1 mg/kg (for MDA-MB-231) or 0.3 mg/kg (for PC3) showed significant anti-tumor activities.

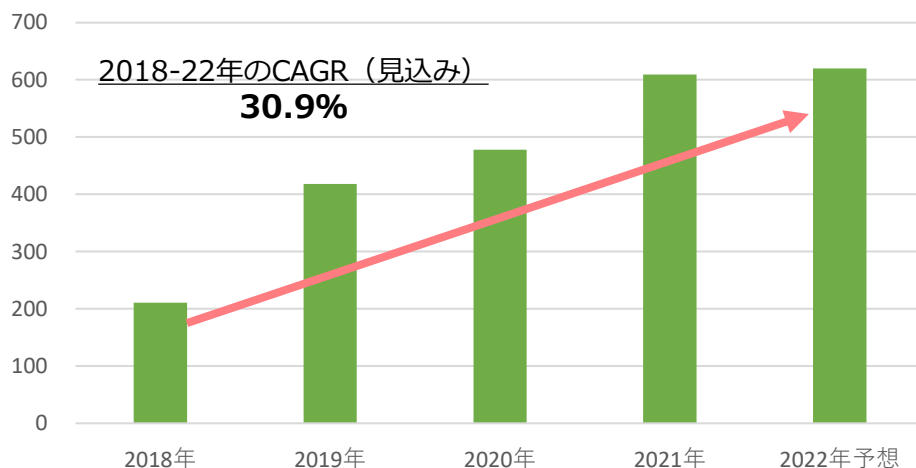


製薬企業等との取引

- 第3四半期までの累計売上高は433百万円（前年同期比4百万円減）。
- 前年同期比では減収も、国内製薬企業を中心とした既存顧客との着実な取引を実施。
- 2022年7月ロート製薬との治療用抗体作製に関する新規のオプション権付委受託契約締結。作製された抗体が商業化・開発段階に移行する場合、オプション権が行使される（オプション権の行使期間は本委受託契約にかかる業務終了後5年間）。

(単位：百万円)

創薬支援事業売上高推移



| 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 |



臨床開発パイプラインの価値向上及び導出時の経済条件の最大化 創薬支援事業の取引拡大に向けた成長投資の実施

第18回新株予約権による資金調達と資金使途

自社パイプラインの価値最大化を狙った開発投資

CBA-1205

- ・ 治験薬の安定供給及び次相の速やかな臨床開発に向けた原薬及び治験薬製造
- ・ 製品価値向上のための開発研究及びバイオマーカー探索

CBA-1535

- ・ 臨床第1相試験後半パート臨床試験の遂行

創薬支援事業の持続的な成長を目指した設備投資

設備投資/研究機器の増設及びリプレイスによるキャパシティの拡大

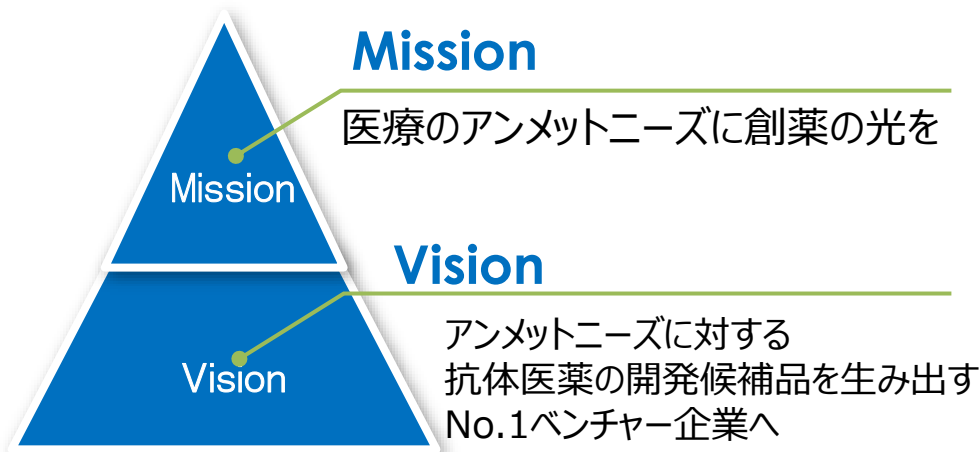
2022年10月末時点の発行新株予約権の行使個数 57,816個／80,000個



(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
東証グロース (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** 64名
(研究員47名 うちPhD19名)
- **事業内容** 抗体医薬品の研究開発等
(2022年9月30日現在)



< アンメット (メディカル) ニーズ >

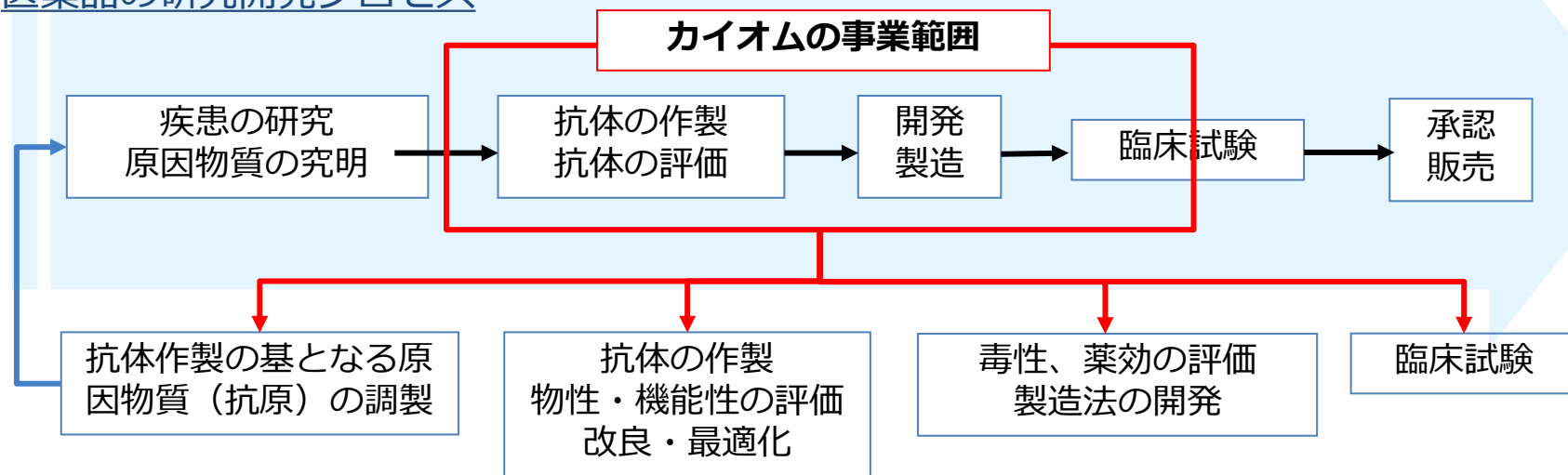
現状の医療では満たされていないニーズ、すなわち、いまだ有効な治療法や薬剤がない疾患に対する医療ニーズのことです。今もなお、アンメットニーズが存在する疾患は数多くあり、新薬の開発が待たれています。



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



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に実施許諾し、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。

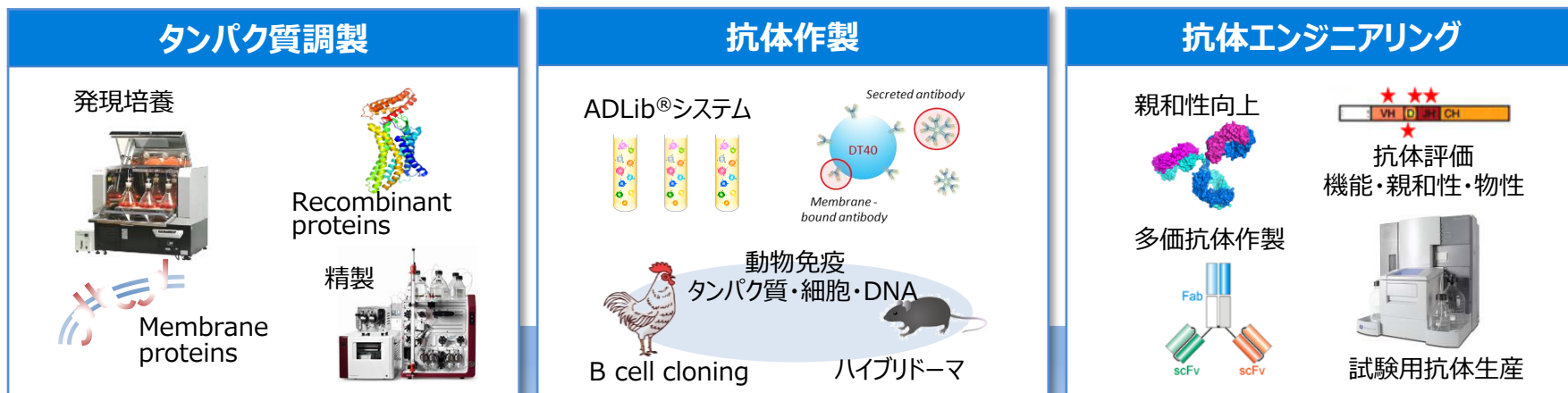
創薬支援事業

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。

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

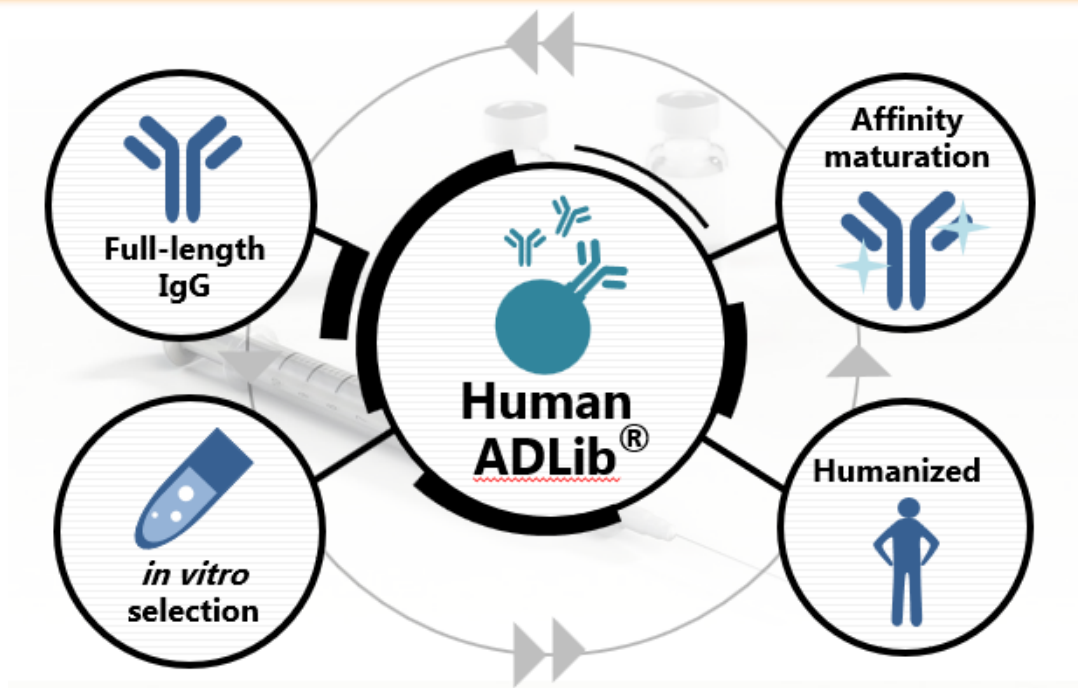
安定的な収益を獲得する事業

コア技術 : Human ADLib[®] System



One-stop-order platform for antibody drug discovery

ADLib[®]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[®]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>)

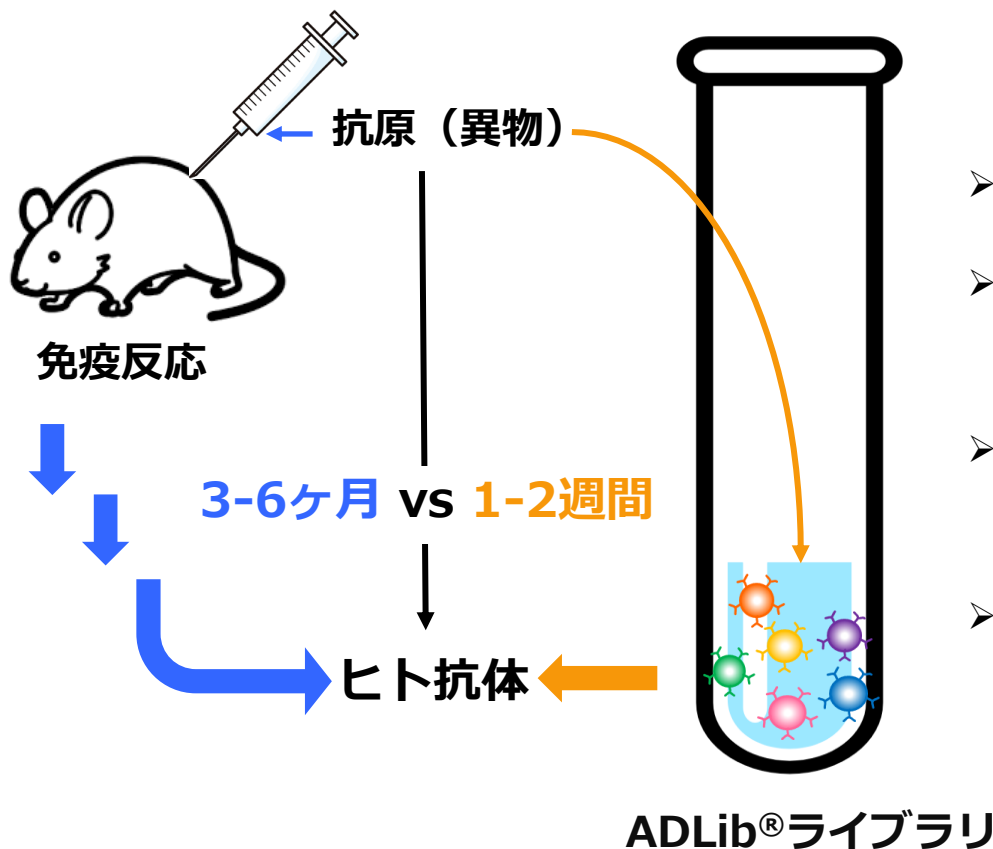
論文のポイント : <https://www.c.u-tokyo.ac.jp/info/news/topics/files/20200527sobunotseo01.pdf>



生体（動物）を使わずに培養細胞（試験管内）でヒト抗体を作製する方法

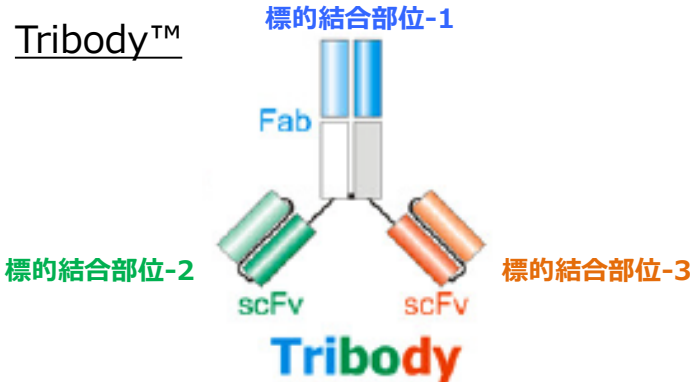
動物免疫法

ADLib®法



- 短時間でヒト抗体が取得できる
- 動物個体の免疫法と違い、免疫寛容の影響を受けない
- 遺伝子の自律的多様化という特徴を活用し、抗体の高親和性化まで連続でできる
- 早く抗体を取っていち早く特許出願

コア技術： Tribody™ (多重特異性抗体作製技術)

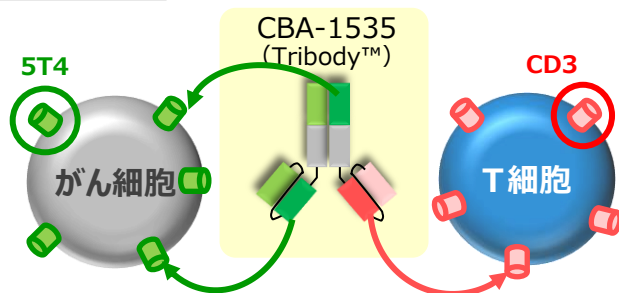


Tribody™は分子工学的手法により作製した複数の抗原に対する特異性を持つ多重特異性抗体で、1つの分子の中に3つの異なる抗原結合部位があり、異なる機能を組み合わせることが可能となる技術。



Tribody™技術により医薬品候補物質を創製

CBA-1535



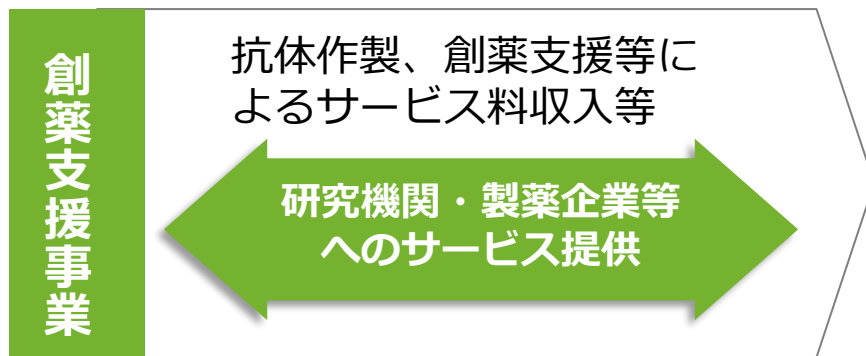
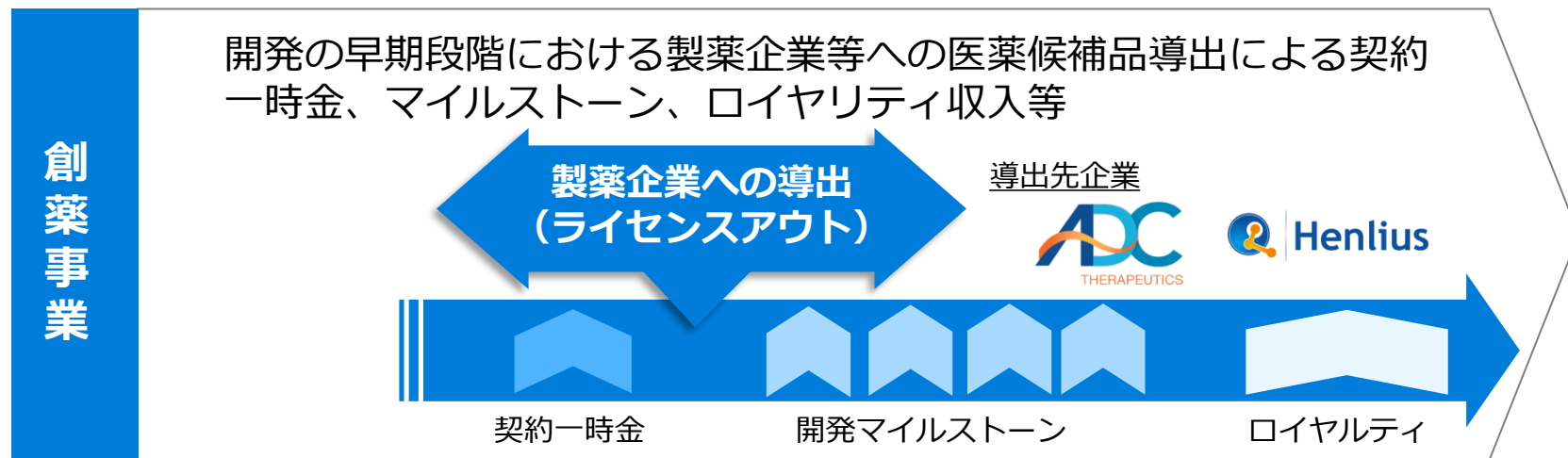
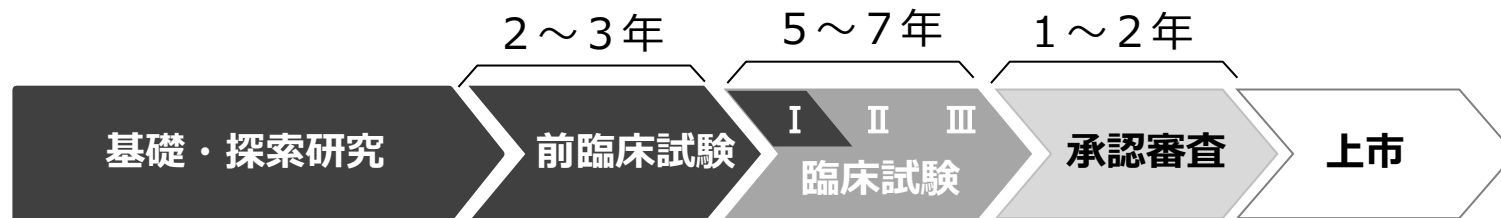
- 5T4というがん細胞に発現している標的を2本の手でがっちり掴み、がんを攻撃するT細胞上のCD3を3本目の手が掴む
⇒ がん細胞の近くにT細胞を引き寄せる。
- 5T4を他のがんの特異的なターゲットに代える、または1つのがん細胞に発現している2種類のターゲットを掴むことも可能

結合する標的や結合する手の数の組み合わせにより、これまで医薬品にできなかった標的に対する抗体の創製、複数薬剤の併用投与から解放される特徴を有するような抗体の創製が期待されます。



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

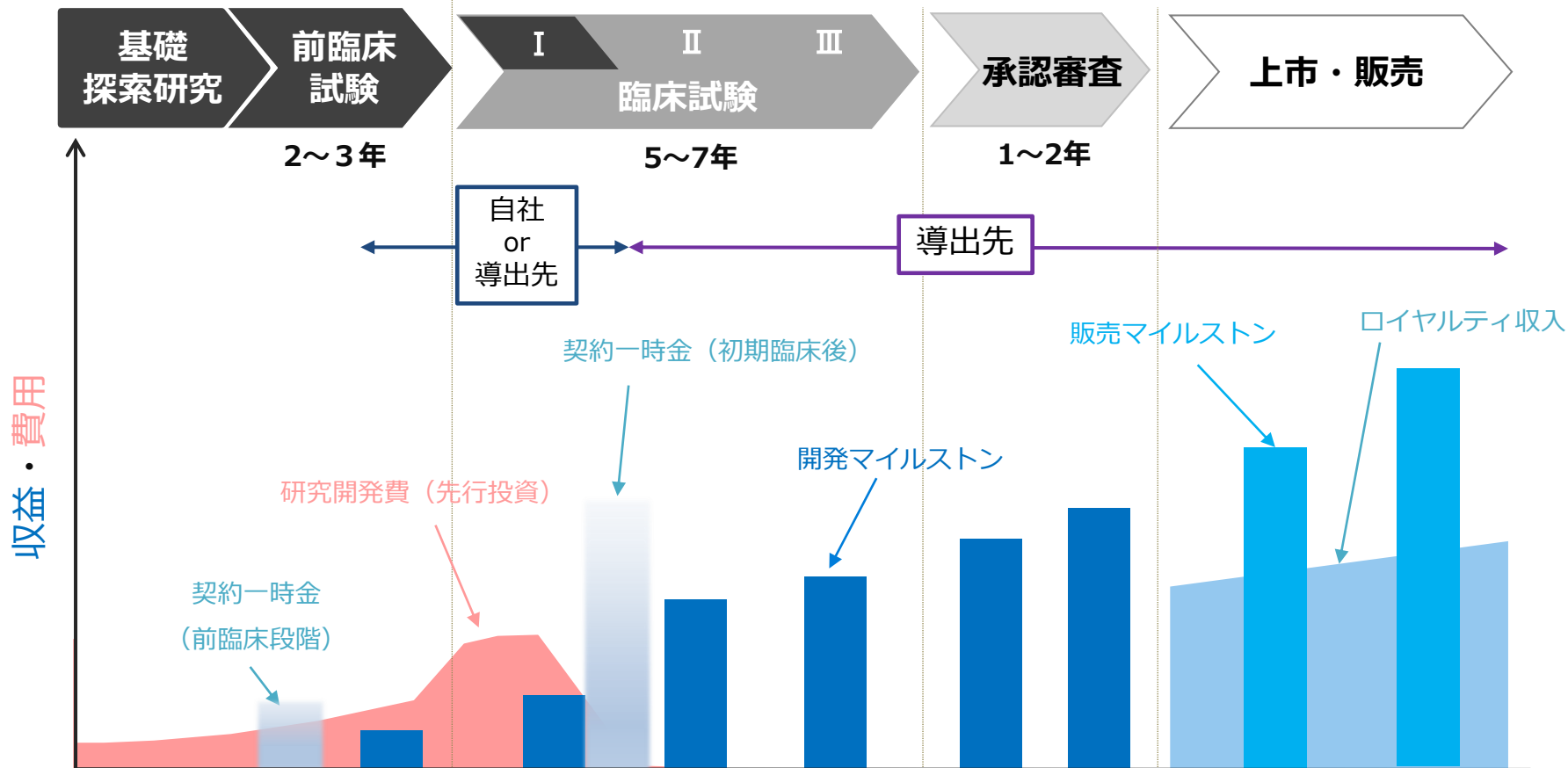


| 創薬支援事業における主要な取引先 | 契約締結年月 |
|---|----------|
| 中外製薬株式会社 | 2011年 6月 |
| Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd | 2012年 8月 |
| 田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc. | 2016年12月 |
| 小野薬品工業株式会社 | 2018年10月 |
| 協和キリン株式会社 | 2019年 7月 |

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ーンの金額が増大。
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。

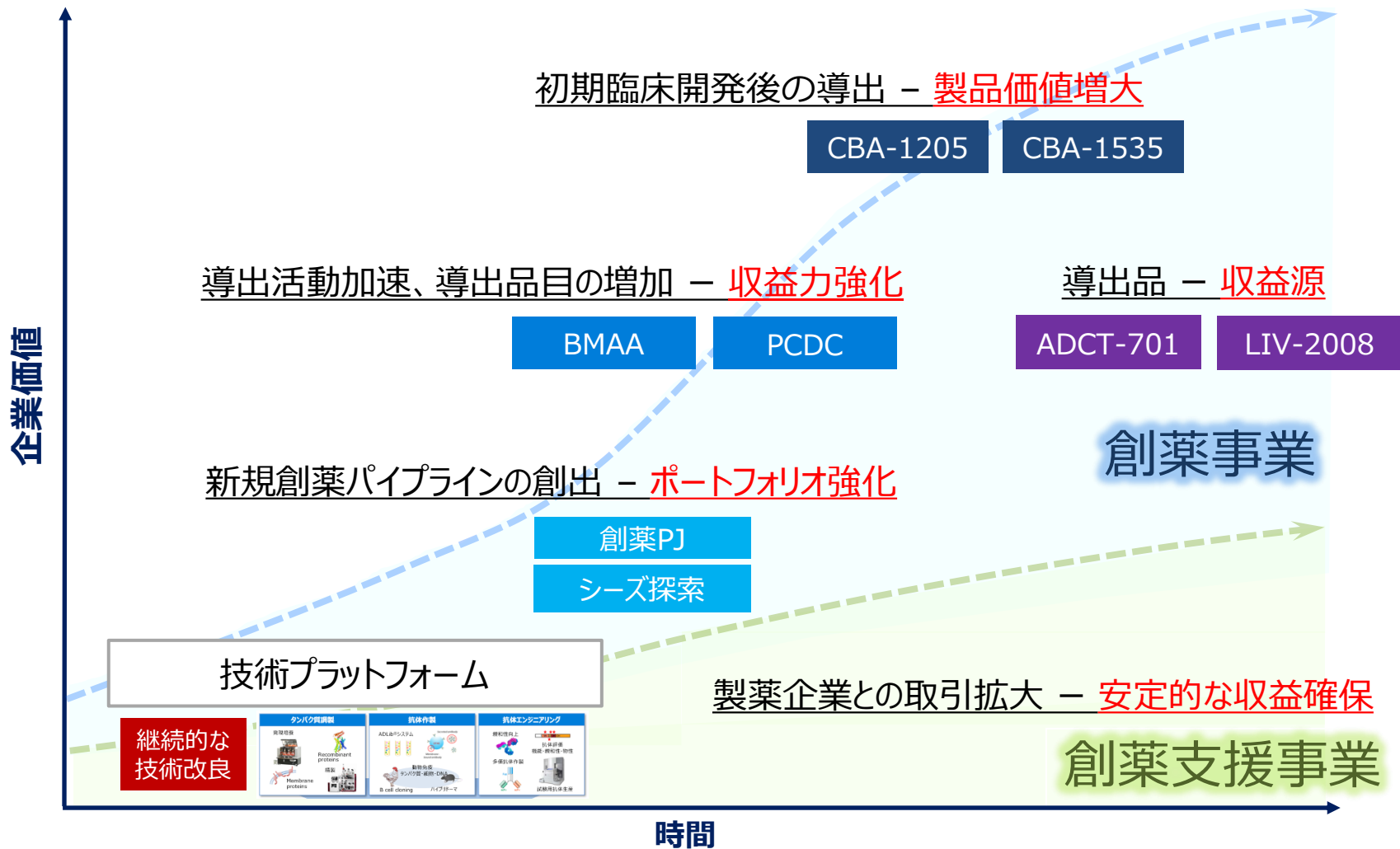


※上記は医薬品ライセンス契約をご理解いただくための収益イメージであり、実際の契約では、その契約ごとに契約一時金、マイルストーンのステージや数・金額、及びロイヤルティの料率の内容が異なります。

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に注力し、企業価値を向上を目指す





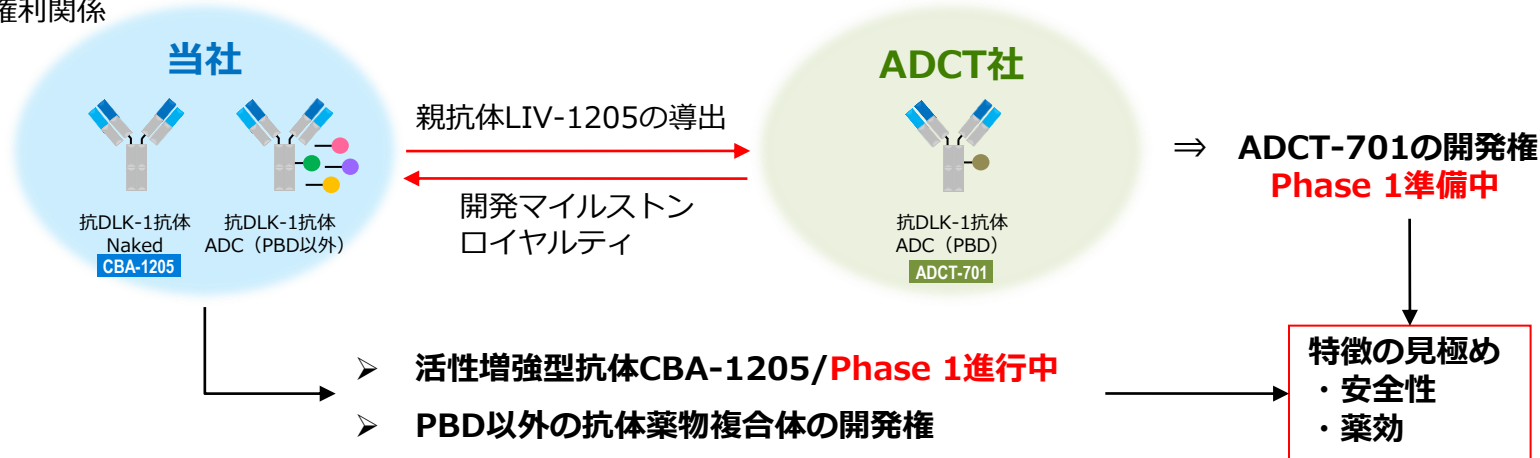
(参考) パイプライン紹介

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

| | |
|--------|--------------------------------|
| 特徴 | DLK-1を標的とした抗体の薬物複合体 (ADC) |
| 想定適応疾患 | 神経芽細胞腫、肝細胞がん、小細胞肺がん等 |
| 知財 | ヒト化抗DLK-1抗体：日本・米国・欧州・中国他で特許成立。 |

- ✓ ADCT-701は、カイオムが開発した抗体LIV-1205とPBD※の抗体薬物複合体。
(※Pyrrrolobenzodiazepine：抗腫瘍特性を有する薬物)
- ✓ ADCT社は米国国立がん研究所 (NCI) と神経内分泌がんを対象とした臨床試験を準備中。
(ADCT社HP：[Our Pipeline - ADC Therapeutics](#))

抗DLK-1抗体の権利関係





ADCT-701 米国国立がん研究所 (NCI) との共同開発へ ～ADCT社とNCIがADCT-701の神経内分泌がんにおける共同開発を開始～

- ✓ ADC Therapeutics社と米国国立がん研究所 (National Cancer Institute; NCI) は、神経内分泌悪性腫瘍におけるDLK-1*を標的としたADCT-701の臨床開発を目的に契約を締結。
- ✓ 当社はがん治療用抗体 LIV-1205 の、PBDを用いたAntibody Drug Conjugate (以下、ADC) 開発用途に限定した全世界での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ADCT社に付与しており、同社では開発コード ADCT-701 として臨床試験実施に向けた準備が進行中。

ADCT社とは

ADCT社はスイスのローザンヌ地方に本社を置くADC開発のリーダーで、ADC技術を用いて、固形がんおよび血液がんの両方を対象とした独自のがん治療薬を開発。同社のZYNLONTAは難治性のびまん性大細胞型B細胞リンパ腫の治療薬としてFDAの承認を得ている。また、複数のプログラムにおいて臨床試験を実施している。



NCIとは

NCIとは、米国の国立衛生研究所 (NIH) を構成する8つの機関の一つ。NCIは米国における抗がん剤開発の多くに関与しており、組織内部に大きな研究プログラムを持つだけでなく、米国内のがん研究者に対する助成も積極的に行っている。また、対がん戦略である国家がんプログラム (National Cancer Program) を調整する役割も担う。



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, Inc.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 \(windows.net\)](#))

経済条件

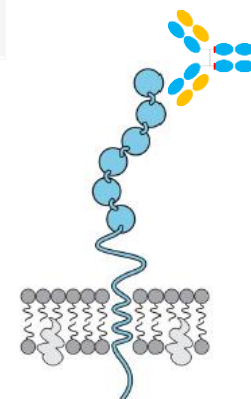
上記のオプション権を行使して全世界での開発、製造および販売を行う場合、オプション行使時の一時金と開発および販売の進捗に応じたマイルストーンの総額は最大約122.5百万USドルの契約。また、本医薬品が上市された場合には販売額に応じた一定料率のロイヤルティ収入を受領する。



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。 |



臨床第1相試験 前半パート：患者さんでの安全性を評価 → 登録終了

- ・重篤な副作用の発生は無し
- ・標準治療に不応な固形がん患者さんにおいて、途中経過ではSD（安定）評価が続き7ヶ月以上投与が継続されている患者さんを複数確認。

後半パート：肝細胞がん患者さんでの安全性と有効性の評価を実施中

解決すべきアンメットニーズ

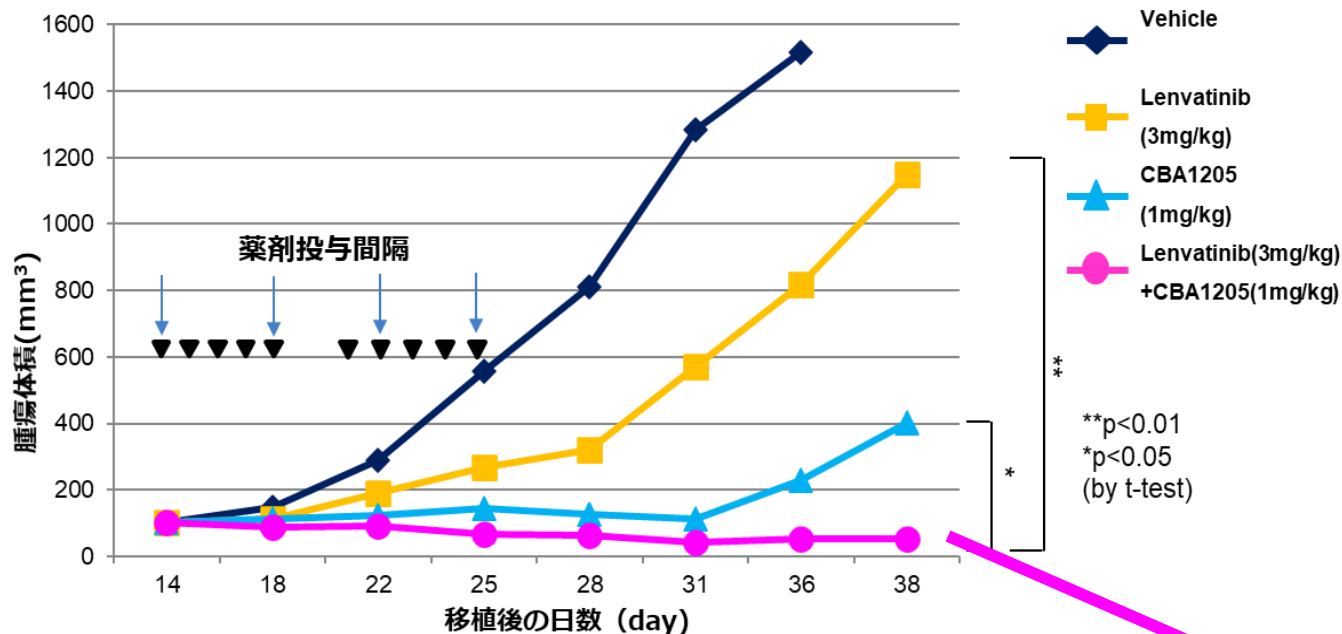
肝細胞がんを始めとした有効な治療薬がない悪性度の高い腫瘍に対する新たな治療薬を提供する。



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

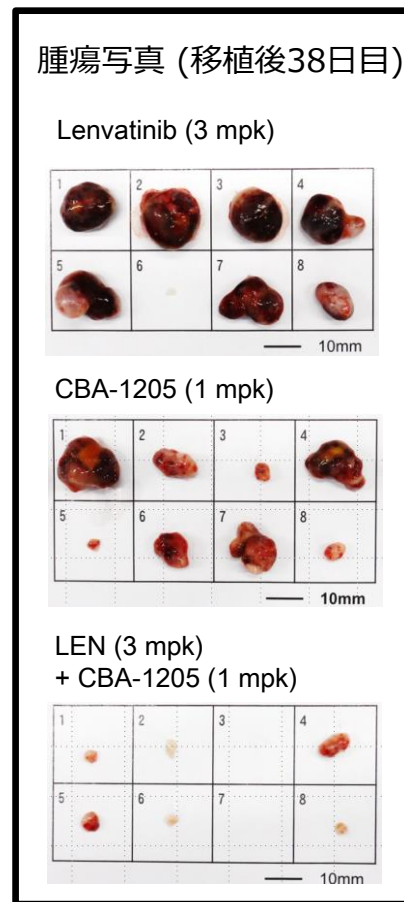
肝癌ゼノグラフトモデル（Hep3B）での併用効果



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



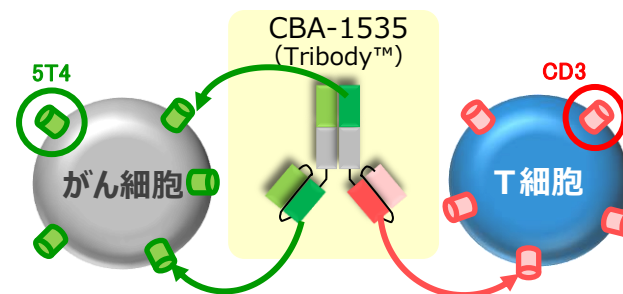


CBA-1535（ヒト化抗5T4・抗CD3多重特異性抗体） 標的分子：5T4×CD3×5T4

| | |
|--------|--|
| 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、小細胞肺癌、非小細胞肺癌、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）。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・中国で特許成立。欧州他で特許出願中 |

臨床第1相試験 固形がん患者さんでの安全性と初期の薬効評価を目的とした前半パートを実施中。

治験実施施設：国立がん研究センター中央病院
静岡がん研究センター



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 | 非開示 |
| 期待 | 免疫系疾患、神経疾患等、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・欧州で特許成立。 |

- ✓ セマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた海外研究機関との共同研究を実施完了。
- ✓ これまでに取得したセマフォリン3Aのデータおよびセマフォリンファミリーに関する探索研究のデータとともに今後の事業開発活動に繋げる。



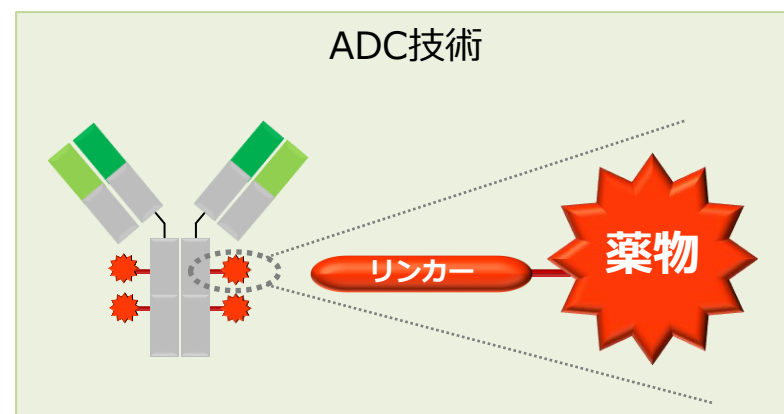
PCDC（ヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体）

標的分子：CDCP1

ファーストインクラス

| | |
|--------|---|
| 経緯 | 当社が創製したヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体（ADC） |
| 想定適応疾患 | 固形がん |
| 期待 | CDCP1はFirst-in-classとなる標的分子であり、標準治療耐性のがん種を含む幅広い固形がんで発現している（肺、結腸直腸、膵臓、乳、卵巣がんなど）。 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。 |
| 知財 | 『抗CDCP1抗体』（PCT国際出願中） |

- ✓ ADC用途を中心とした導出活動を推進中
- ✓ 導出戦略・ターゲット
 - ① ADCとしてパイプラインを拡充したい製薬企業
 - ② 独自のADC技術を持っているADC用の抗体が欲しい製薬企業
- ✓ Heidelberg Pharma社のアマニチンを用いた動物モデル薬効薬理データも導出データパッケージに追加し、導出活動を本格化。





| 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 [®] 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 [®] 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 Controls 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傷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。