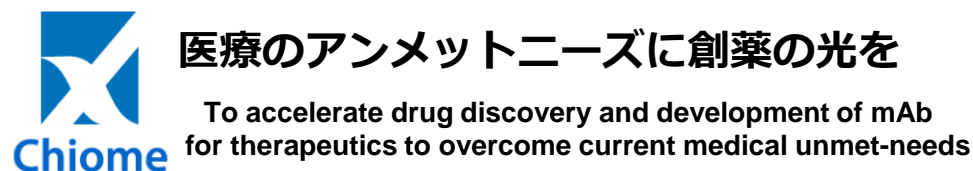




証券コード：4583

事業計画及び成長可能性に関する事項

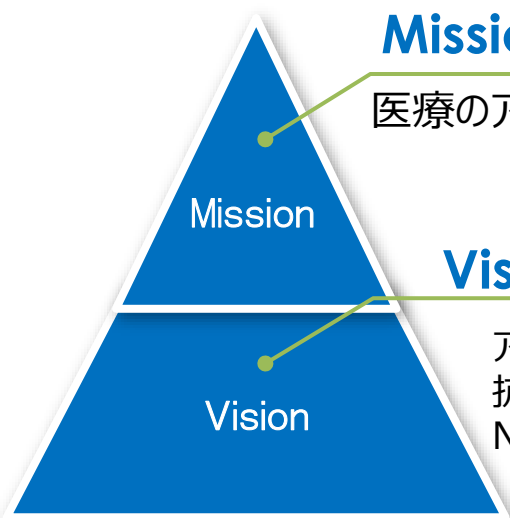
2025年3月28日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



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



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ベンチャー企業へ

- 設立 2005年2月
- 上場 2011年12月
東証グロース (4583)
- 代表 小池 正道
- 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 63名
- 事業内容 抗体医薬品の研究開発等
(2025年2月28日現在)



主な経歴



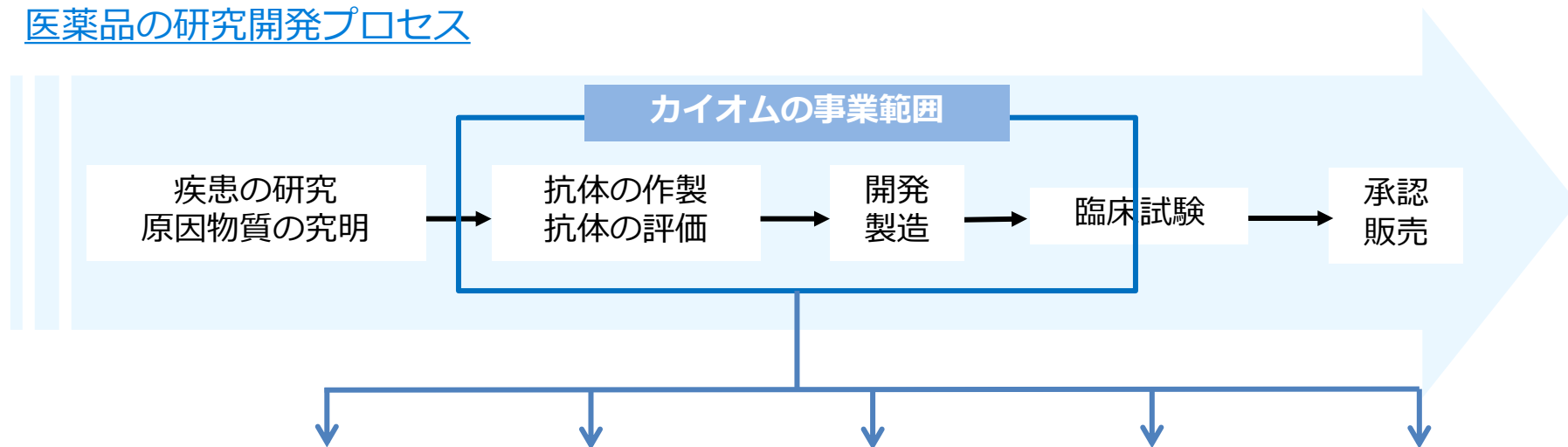
代表取締役社長
小池 正道

BioWa, Inc. 社長、Kyowa Hakko Kirin Pharma, Inc. 社長、協和キリン(株) 研究開発本部 がんR&Dユニット長、研究機能ユニット長、研究ユニット長、当社研究担当取締役を経て、現任

※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。



医薬品の研究開発プロセス



当社が有する
研究開発機能

	タンパク質調製	抗体作製	原薬/治験薬製造	非臨床/臨床開発	知財
経験/ノウハウ	○	○	○	○	○
独自の特許		○	△*		

※パイプラインの製法特許

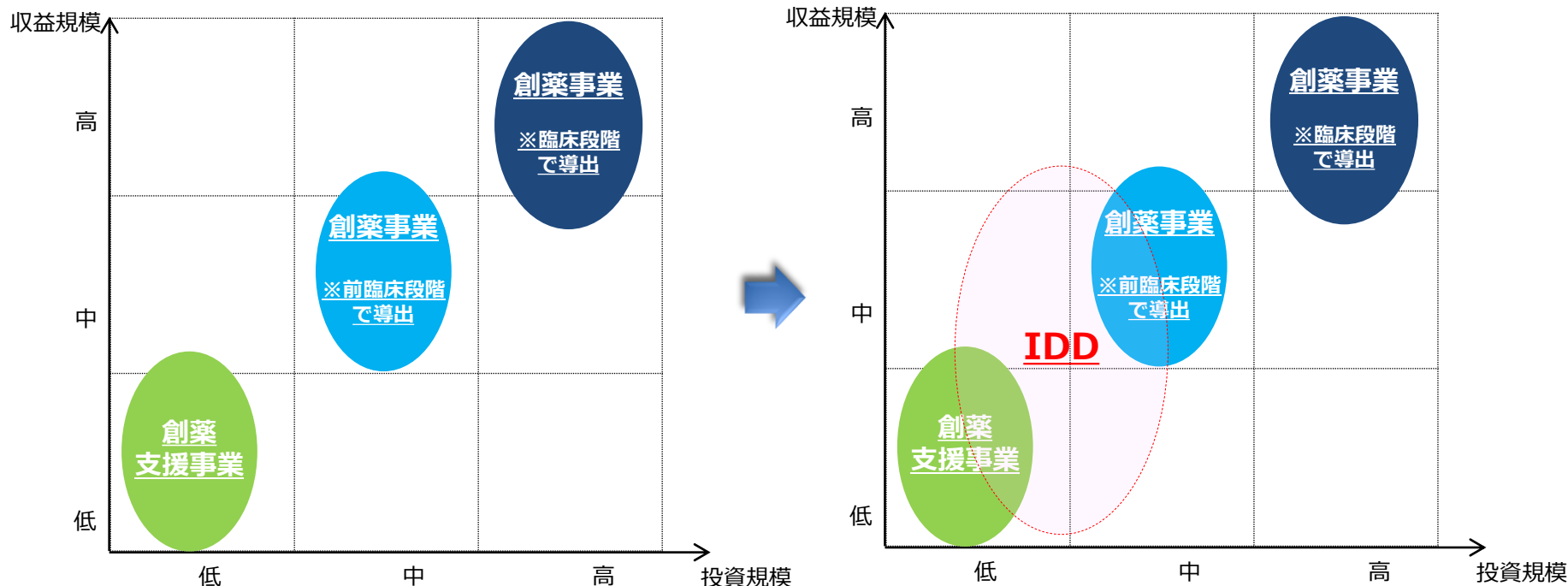
新規抗体創製から初期臨床開発を実施できる研究開発体制を構築

当社の事業セグメント



創薬事業と創薬支援事業に加え、2025年に抗体創薬にかかるプラットフォーム型ビジネスであるIDD (Integrated Drug Discovery) ビジネスを立ち上げる。

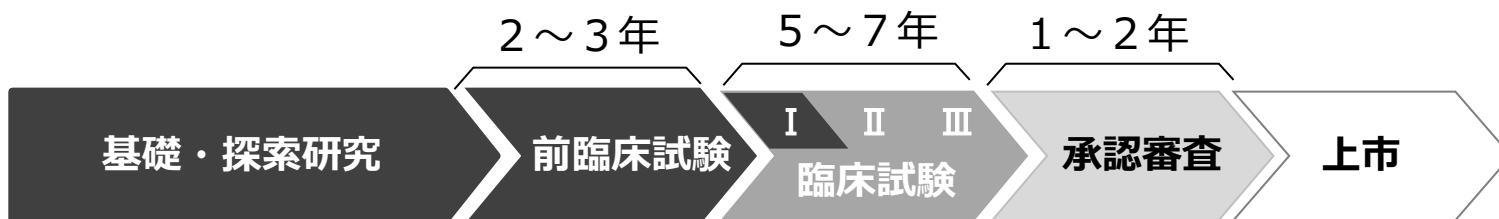
各ビジネスのリスク/リターン



創薬支援	IDD NEW	創薬
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”。	製薬企業等のパートナー企業の様々な研究開発ニーズに対して自社知識経験・技術に基づく解決法を提供し、共同で抗体創薬の研究開発を進め、マイルストーン収入を獲得していく事業。	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。



一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル



ライセンス型

製薬企業等への医薬候補品導出および共同研究開発による契約一時金、マイルストーン、ロイヤルティ収入等



委受託型

研究開発の業務委託やコンサル業務によるサービス料収入等

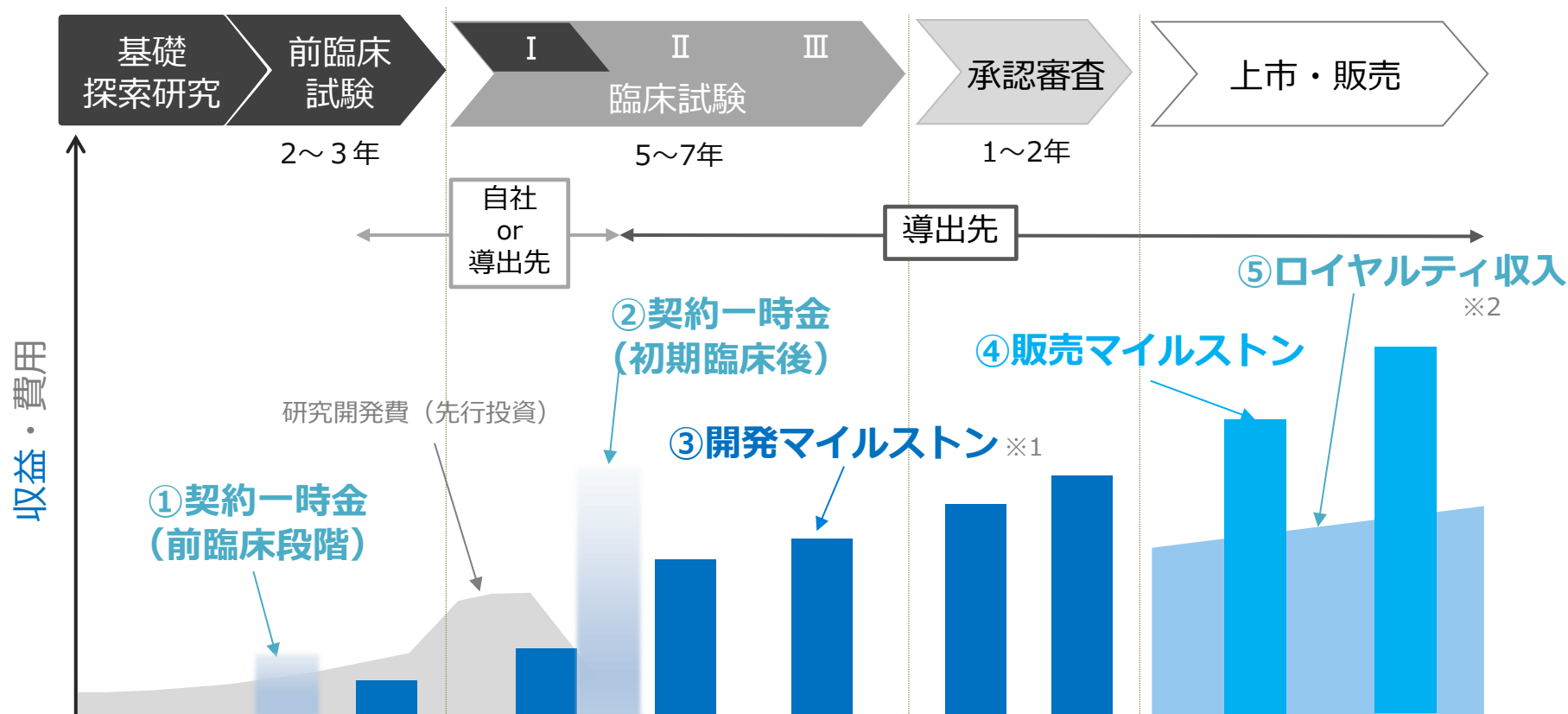
研究機関・製薬企業等へのサービス提供

	ライセンス型	委受託型
創薬事業	○	
創薬支援事業		○
IDD型 ビジネス	○	○

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。

※1 マイルストーンとは：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。

※2 ロイヤルティとは：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。

世界の医薬品市場 モダリティ※別の市場規模とCAGR

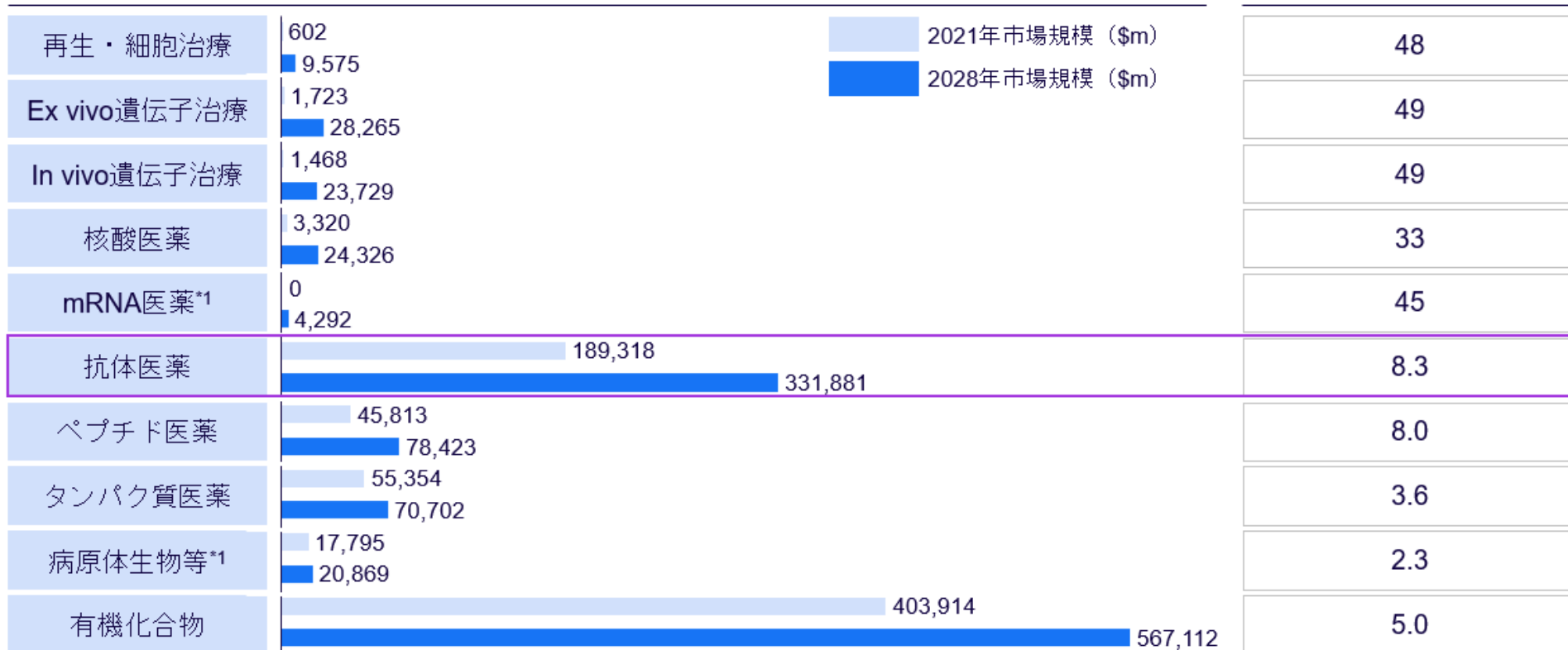


各モダリティ毎の市場規模とCAGRは以下のように予測されている

※Evaluate Pharmaのデータは以下に留意
 ・成功確率は加味されていない
 ・公表されている一部の有望パイプラインのみで算出
 ・アーリーなパイプライン等、一部品目は売上予測値が無い

モダリティ毎の市場規模推移（2021-28年）

CAGR（2021-28年，%）



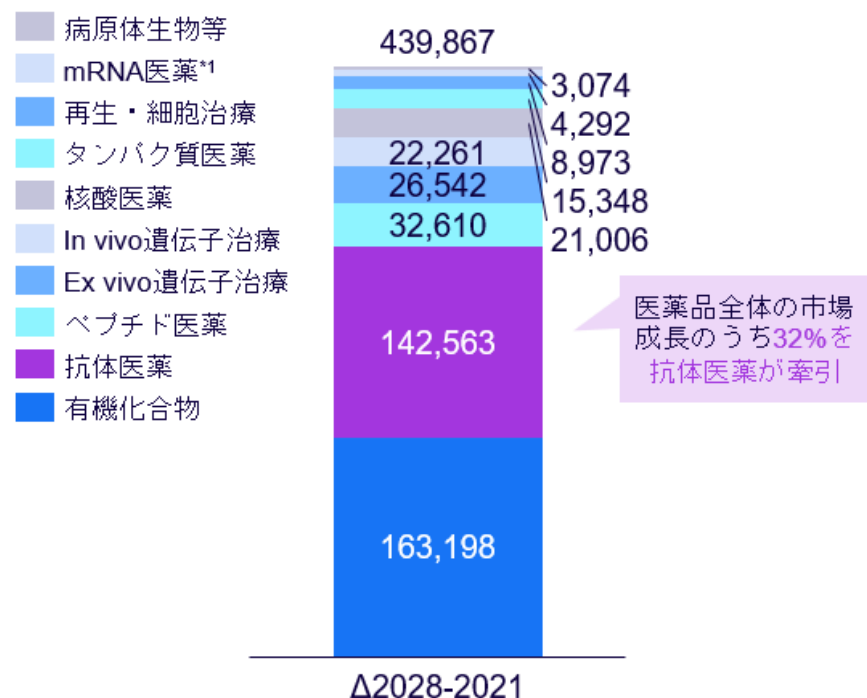
*1 一過性の要因による影響を排除するため、mRNA医薬と病原体生物等はCOVID-19関連の品目を除いて算出した *2 2021年の市場が存在しないため、2026-28年の市場規模を用いて算出した
 出所: Evaluate Pharma (検索月: 2023年2月) よりアサー・ディー・リトル/グロス・キャピタル作成

※モダリティとは、低分子薬・抗体医薬・核酸医薬・遺伝子治療といった治療手段、あるいはそれに基づく医薬品の分類の種別を指す

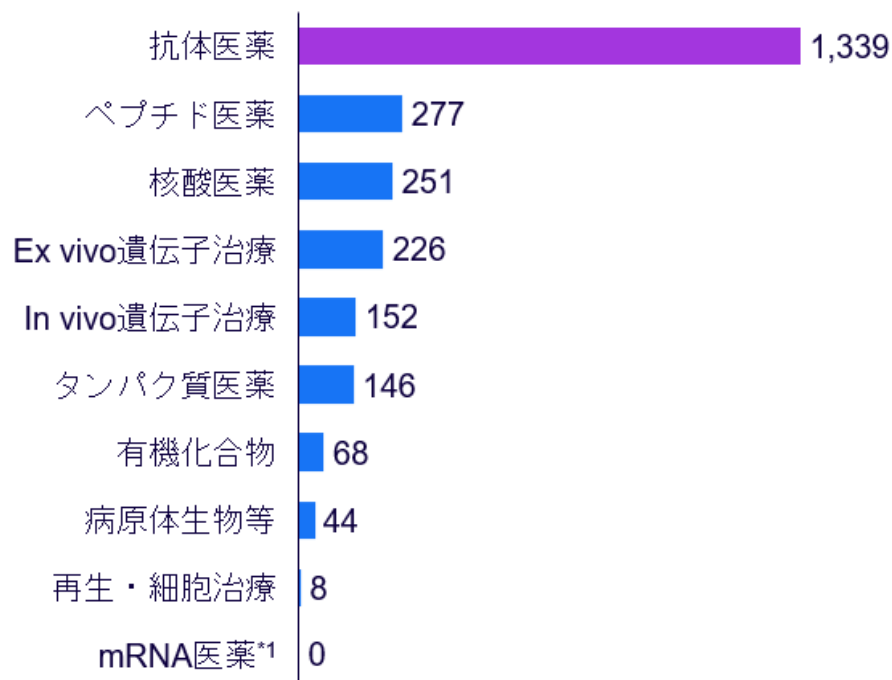


2021年から2028年までに新薬で獲得可能な新規市場のうち32%を抗体医薬が占める見込みであり、1品目当たりの平均年間売上額が最も高いことから抗体の市場有望性は高い

モダリティ毎のΔ2028-2021の市場規模 (mUSD)



モダリティ毎の1品目当たりの平均年間売上額 (2022年時点、mUSD)



*1 一過性の要因による影響を排除するため、mRNA医薬と病原体生物等はCOVID-19関連の品目を除いて算出した *2 2021年の市場が存在しないため、2026-28年の市場規模を用いて算出した
出所: Evaluate Pharma (検索月: 2023年2月) よりアサー・ディー・リトル/グロース・キャピタル作成

抗体医薬品と低分子医薬品の主な違い



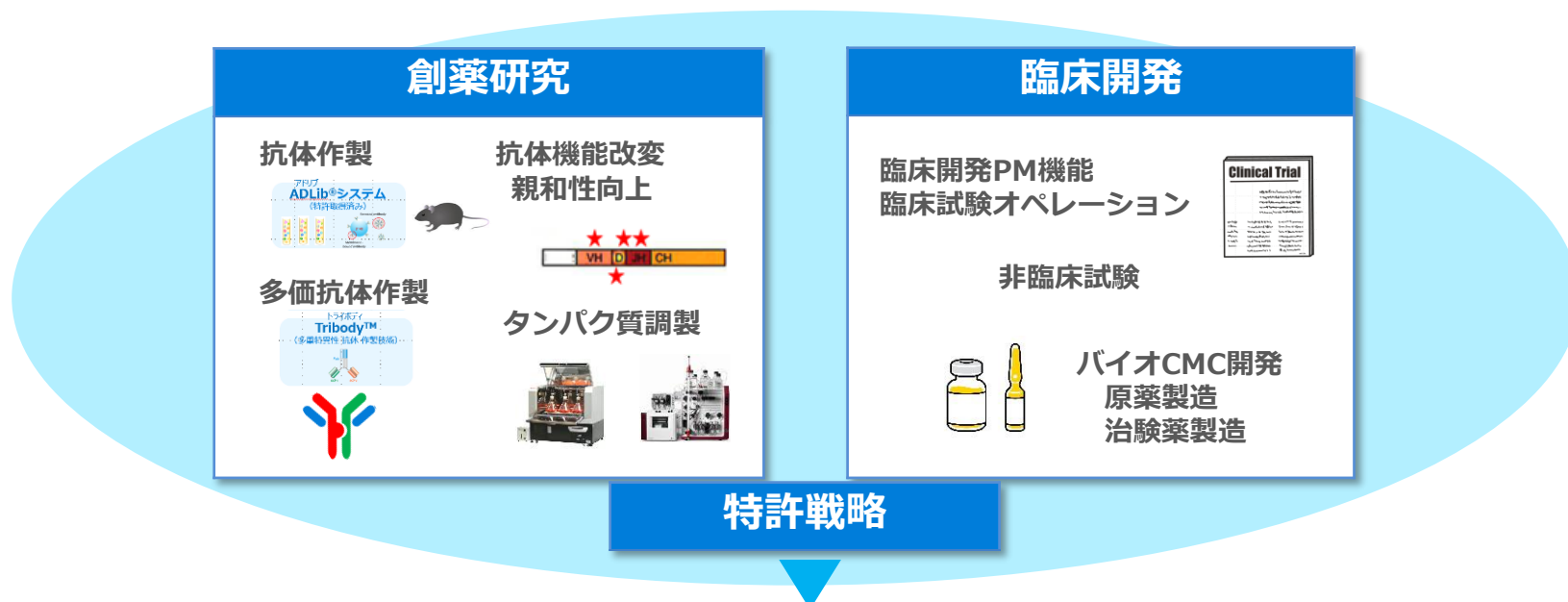
抗体医薬品は、バイオ技術（遺伝子組換え）がもたらした有用な医薬品

	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ので、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	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、点眼、吸入等 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1-3回、毎日服用
ターゲット特異性	高い	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



抗体創薬プラットフォーム (Chiome's mAb Discovery Engine)



抗体創薬の実績

「創薬パイプラインの創出 & 導出」 「臨床試験の治験申請・臨床開発実務」 「原薬・治験薬製造」

当社の優位性

モノの目利き力×最速・最短で研究から臨床入りまで仕上げる事ができる実務力=カイオムの創薬力

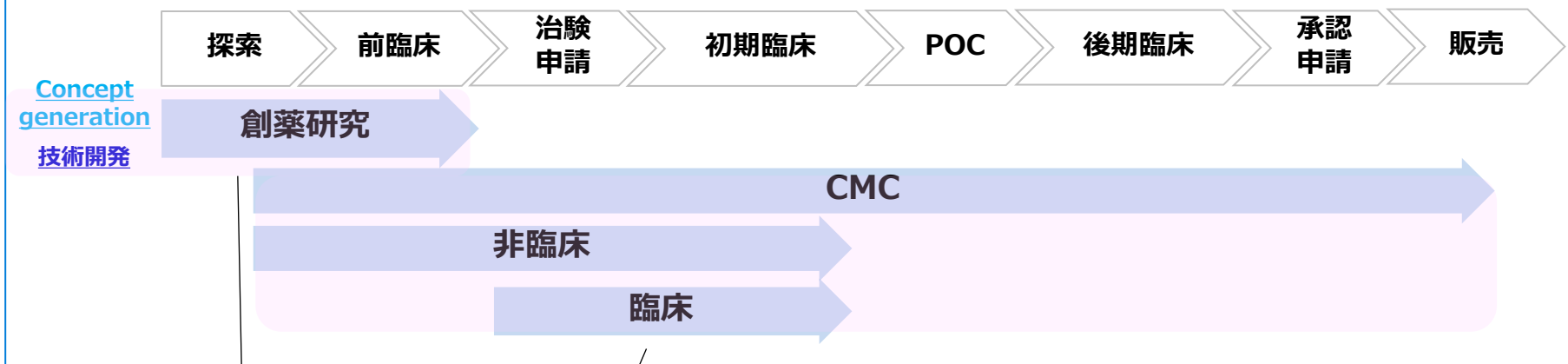
ベンチャーならではのアジャイル型研究開発体制を保有しており、最小の工数や資金で効率的な投資判断を行い、最大のリターンを狙う

カイオムのCapability



抗体創薬のプロジェクトをスクリーニング、in vitro/vivo評価、CMC、IND、初期臨床までを一気通貫で対応可能なプラットフォームを構築。医薬品として仕上げるための経験・know-howを用い、最短・最速で自社/他社の創薬シーズの事業化を推進する高い実務力を有する。

カイオムのCapability（組織的な強みとなる能力）



創薬研究		臨床開発	
抗体作製 ADLib®システム	抗体機能改変 親和性向上	臨床開発PM機能 臨床試験オペレーション	Clinical Trial
多価抗体作製 Tribody™	タンパク質調製	非臨床試験	
		バイオCMC開発 原薬製造 治験薬製造	

特許戦略

当社の優位性 = 抗体創薬のIntelligence

モノの目利き力
×
最速・最短で研究から臨床入りまで
仕上げる事ができる実務力



抗体作製技術

【ADLib® システム】 生体（動物）を使わず、試験管内でヒト抗体を作製する方法

- 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



ADLib®ライブラリ

多価抗体作製技術（標的・結合方法により様々な組み合わせによるリード抗体の創出ができる技術）

【Tribody®】 1つの分子に3つの結合部位があり、異なる機能の組み合わせを可能にする技術



【バイスペシフィック抗体※作製技術（開発中）】

ADLib®システムを応用した多サンプルを高速で評価が可能となるバイスペシフィック抗体作製のための細胞表面ディスプレイ技術を開発中。



※ 2種の異なるターゲットに結合することができる抗体を自由度高く抗体設計が可能にする技術。



創薬事業/創薬パイプライン

当社のパイプラインに対する考え方



- 当社の抗体創薬プラットフォームを活用しアカデミア・創薬ベンチャー等と治療用候補抗体を創出し、複数の創薬パイプラインを保有する
- 有望なシーズについては製薬企業への導出や新会社立上げによる事業化を推進する

研究・開発

事業化

創薬研究

アカデミア
創薬ベンチャー
抗体創薬の研究機能が
未充足な製薬会社

抗体創薬プラットフォーム

カイオム・バイオサイエンス
+
提携パートナー企業

臨床試験

製薬企業

研究開発（橋渡し）

抗体創薬プラットフォーム
を活用した
創薬研究及びIDDの推進

主要パイプライン



★ 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	提携先	ステータス
CBA-1205 (ADCC enhanced)	DLK-1	がん	—	第1相試験中 (jRCT2080225288)
CBA-1535 (Tibody™)	5T4×CD3×5T4	がん	—	第1相試験中 (jRCT2031210708)
★ PCDC	CDCP1	がん (ADC)	—	非臨床試験中
★★ PTRY	5T4×CD3×PD-L1	がん	—	非臨床試験中
★ PXL	CXCL1/2/3/5	がん	—	非臨床試験中
PFKR	CX3CR1	自己免疫性 神経疾患等	旭化成ファーマ	2024年11月 導出

2025年3月28日時点

今後の創薬パイプラインの拡充等について

アカデミアやバイオベンチャーとの共同事業化、自社次世代抗体作製技術を用いた創薬により当社シーズの増加を狙い、自社のパイプライン化、およびNew Co.型の事業展開も図る。

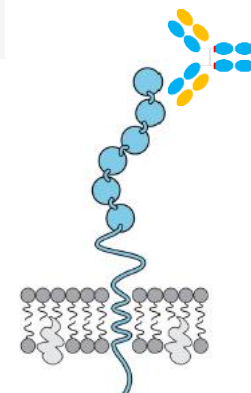
CBA-1205 : 自社開発品



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
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



前半パート

- ・高い安全性。メラノーマの患者さんにおいて腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価※が42ヶ月以上継続中。

後半パート

- ・肝細胞がんで1例のPR（部分奏功：30%以上の腫瘍縮小）を確認。
- ・長期投与実績に基づきメラノーマコホートを追加設定。
- ・欧州のIGTPとの共同研究に基づいて肝芽腫を初めとする小児の神経内分泌がんコホートの追加設定を検討。



グレード3以上の重篤な毒性所見は見られず、高い安全性を確認

CBA-1205投与に関連する有害事象

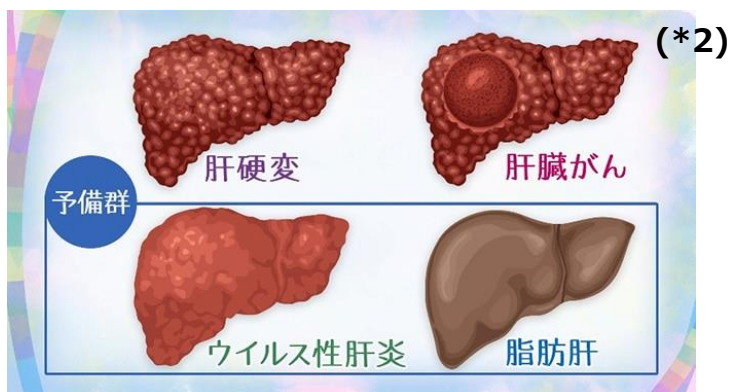
有害事象	投与量 (mg/kg)							合計 (n=22)
	0.1 (n=3)	0.3 (n=3)	1 (n=3)	3 (n=4)	10 (n=3)	20 (n=3)	30 (n=3)	
CBA-1205に関連する有害事象が発生した患者数	1	0	2	3	1	2	3	12
Grade 1-2	1	0	2	3	1	2	3	12
≥ Grade 3	0	0	0	0	0	0	0	0
用量制限毒性	0	0	0	0	0	0	0	0
重篤な有害事象	0	0	0	0	0	0	0	0
死亡例	0	0	0	0	0	0	0	0
投与中止例	0	0	0	0	0	0	0	0

各用量において、グレード 1（軽症）またはグレード 2（中等症）の有害事象報告があったが、グレード3（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）以上の重篤な毒性所見は見られず。また、長期投与症例においても投与継続を妨げるような副作用が生じておらず、CBA-1205の高い安全性を確認。



肝細胞がんとは(*1)

- 肝細胞癌は、肝臓の細胞ががん化したもの
- 肝細胞がんの発生には、肝臓の慢性的な炎症や肝硬変が影響している



症状(*3)

- 黄疸（おうだん：皮膚や目が黄色くなる）、むくみ、かゆみ、だるさや倦怠感
- 進行時：腹部にしこりや圧迫感、痛み
- 肝臓は「沈黙の臓器」と呼ばれ、初期には自覚症状がほとんどない

統計データ(*4)

- 2020年の部位別がん死亡者数では5位

部位別がん死亡者数（2020年）

	1位	2位	3位	4位	5位
男性	肺	胃	大腸	膵臓	肝臓
女性	大腸	肺	膵臓	乳房	胃
男女計	肺	大腸	胃	膵臓	肝臓

出所：

(*1),(*)3 国立研究開発法人国立がん研究センター がん情報サービス

(*2) NHK健康チャンネル

(*4) 国立研究開発法人国立がん研究センター 「がんの統計2022」

https://ganjoho.jp/public/ga_links/report/statistics/pdf/cancer_statistics_2022_fig_J.pdf

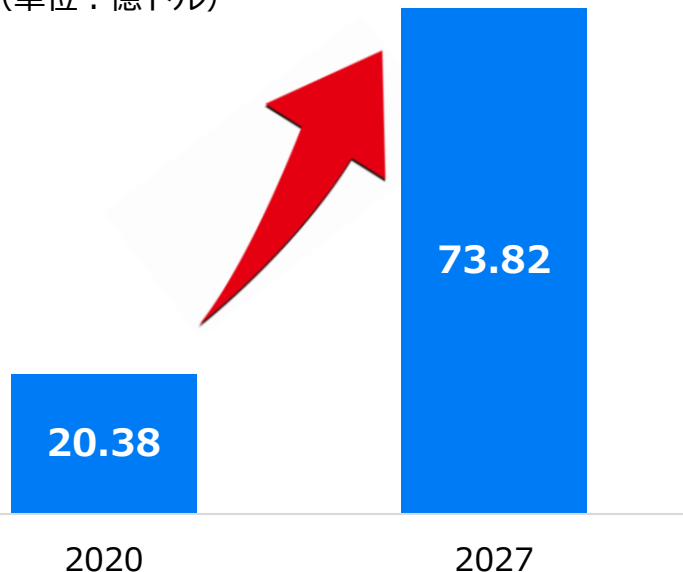
https://ganjoho.jp/public/ga_links/report/statistics/pdf/cancer_statistics_2022_data_J.pdf



- 世界の肝がん（肝細胞がん、胆管癌、肝芽腫等）治療薬市場は年間平均成長率20.2%で成長し2020年の20億USドルから2027年には74億USドルまで規模が拡大する予想(*1)

肝がん治療薬市場のスナップショット

(単位：億ドル)



予測期間	2020-2027
基準年	2019
最成長市場	APAC
最大市場	北米
CAGR	20.2%
成長要因	高アルコール消費、非アルコール性脂肪肝疾患、および中国・インドなどアジアにおけるB型肝炎感染の発生率の上昇に対する肝癌の有病率の増加など(*2)

出所：

(*1) Fortune Business Insights Pvt. Ltd.

<https://www.fortunebusinessinsights.com/liver-cancer-therapeutics-market-104657>

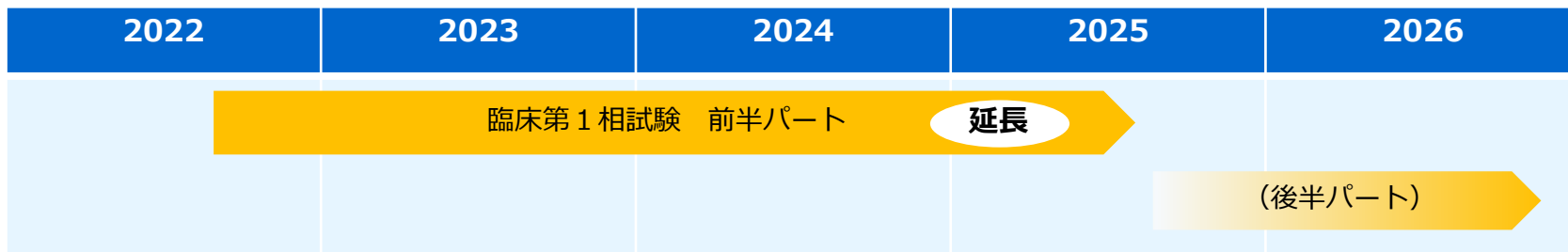
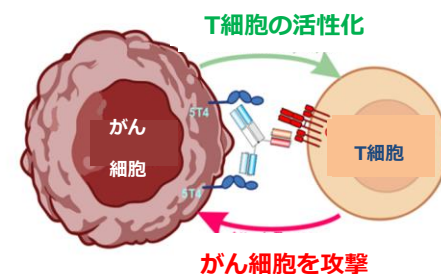
(*2) Research Nester Private Limited <https://www.dreamnews.jp/press/0000262651/>

CBA-1535 : 自社開発品



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

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
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)。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・欧州・中国他で特許成立。



前半パート (単剤)

- ・本抗体のコンセプトであるT細胞活性化を示すパラメーターに反応が見えつつある。現時点では軽微な副作用のみ確認され、**開発上の懸念を示すような安全性にかかるデータは無し。**
- ・**単剤パートのデータのみでの導出の可能性を見据え、単剤パートを延長しデータの拡充を図ることとした。**

後半パート (がん免疫療法薬との併用)

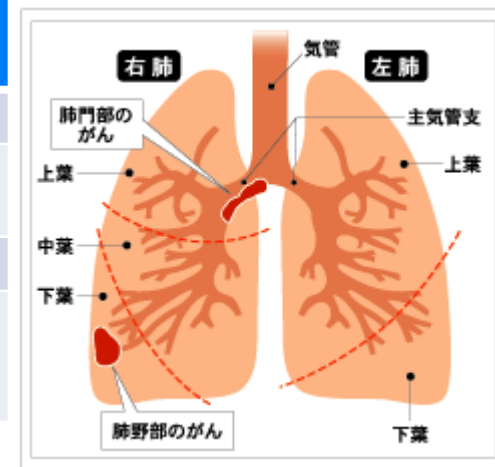
- ・後半パートを実施する前に導出の可能性を模索。



- 気管支や肺胞の細胞が何らかの原因でがん化したもので非小細胞肺がんと小細胞肺がんに分類

肺がんの種類(*1)

	組織分類	多く発生する場所	特徴
非小細胞がん	腺がん	肺野	• 肺がんの中で最も多い
	扁平上皮がん	肺門	• 咳や血痰などの症状 • 喫煙との関連性
	大細胞がん	肺野	• 増殖が速い
小細胞がん	小細胞がん	肺門、肺野ともに発生	• 増殖が速い • 転移しやすい • 喫煙との関連



- 部位別死亡者数は男女ともに高順位であり、男性1位、女性2位となっている

部位別死亡者数（2022年）(*3)

	1位	2位	3位	4位	5位
男性	肺	大腸	胃	膵臓	肝臓
女性	大腸	肺	膵臓	乳房	胃

出所：

(*1) 国立研究開発法人国立がん研究センター「がん情報サービス」
<https://ganjoho.jp/public/cancer/lung/about.html>

(*2) 日本対がん協会

https://www.jcancer.jp/about_cancer_and_knowledge/%E8%82%BA%E3%81%8C%E3%82%93%E3%81%AE%E5%9F%BA%E7%A4%8E%E7%9F%A5%E8%AD%98

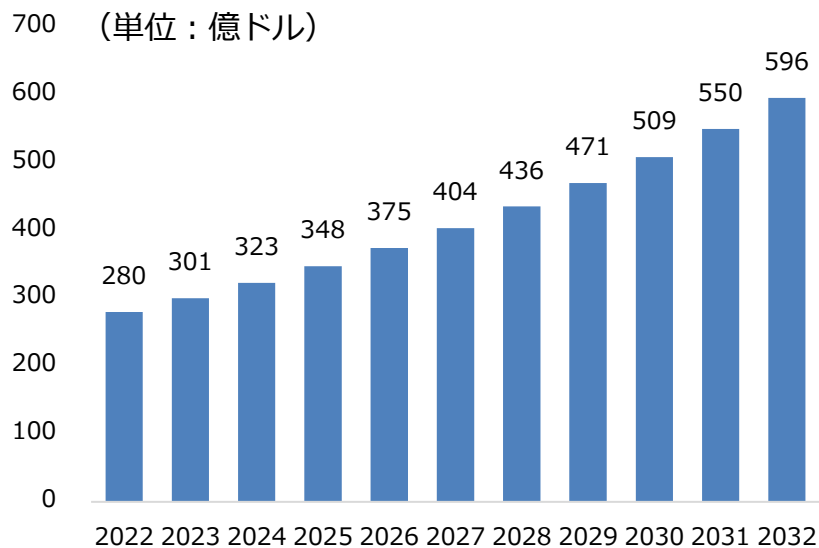
(*3) 厚生労働省「2022年の人口動態統計（確定数）」

<https://www.mhlw.go.jp/toukei/saikin/hw/jinkou/kakutei22/index.html>



- ▶ 国際がん研究機関IARCのデータベース「GLOBOCAN 2020」によると、2020年のがん罹患者数は約1,930万人であり、その内の約11.4%が肺がん (*1)
- ▶ 世界の肺がん治療薬市場は年間平均成長率（CAGR）7.9%で成長し2022年の280億USドルから2032年には596億USドルまで規模が拡大する予想 (*2)

2032年までの肺がん治療薬市場の見通し



予測期間	2023-2032
基準年	2022
最成長市場	APAC
最大市場	北米
CAGR	7.90%
成長要因	喫煙率の増加、および受動喫煙への曝露

出所：

(*1) The International Agency for Research on Cancer

(*2) Precedence Research

<https://www.precedenceresearch.com/lung-cancer-therapeutics-market>



PCDC (ヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体)

標的分子 : CDCP1

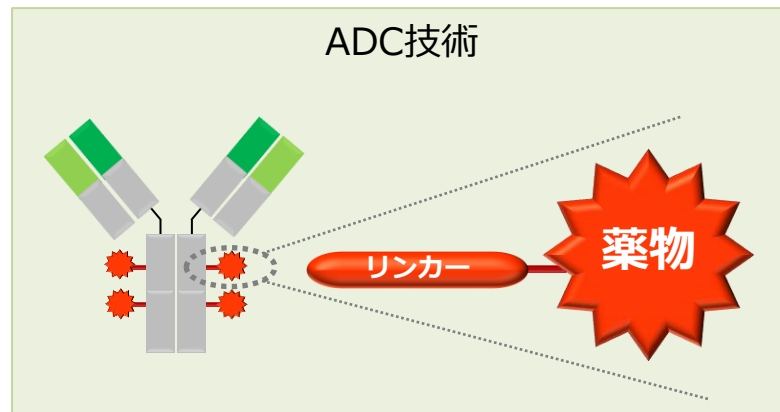
ファーストインクラス

特徴	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	日本・中国で特許成立。米国・欧州他で特許出願中。

- ✓ ADC用途を中心とした導出活動を推進中
- ✓ BIO international等、国内外のカンファレンス等で導出候補企業へのコンタクト・交渉を進める

導出戦略・ターゲット

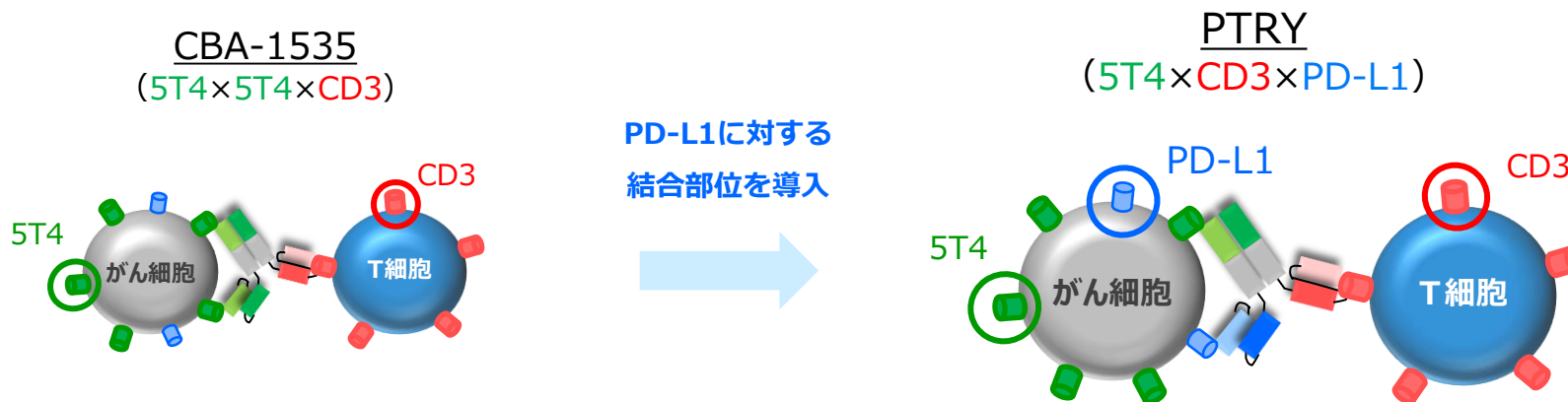
導出先企業のADC技術と当社抗体の組み合わせによる開発ニーズが高いことから、独自のADC技術を持っているADC用の抗体が欲しい製薬企業への導出活動を推進。





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 \(biomedcentral.com\)](https://doi.org/10.1186/s12943-020-01188-1)

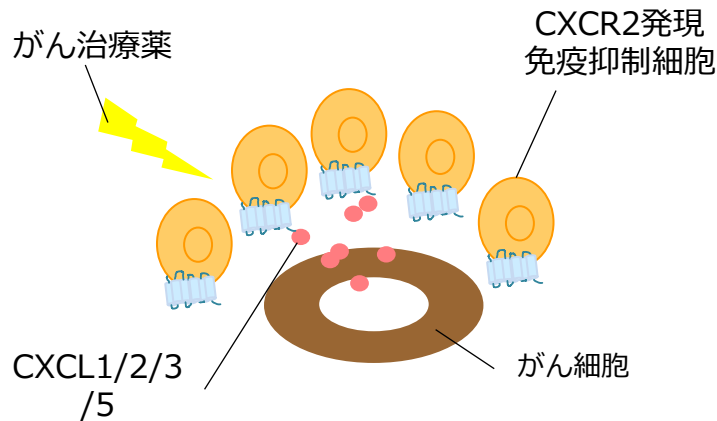


PXLR (ヒト化抗CXCL1/2/3/5抗体)

標的分子 : CXCL1/2/3/5

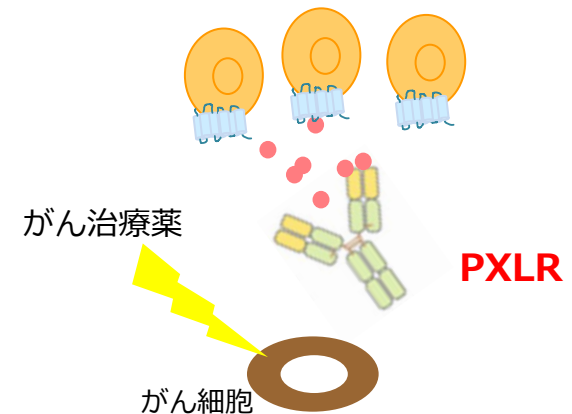
特徴	CXCR2発現細胞の走化性因子であるCXCL1/2/3/5の機能阻害抗体であり、薬剤耐性のがん微小環境を改善させるがん治療抗体
想定適応疾患	固形がん（胃がん、乳がん、卵巣がん、など）
期待	がん細胞はCXCL1/2/3/5を発現し、薬剤耐性環境の原因細胞である免疫抑制細胞を呼び寄せる。PXLR抗体の投与により免疫抑制細胞を減少させ、薬剤耐性を克服およびがんの再発抑制が期待される。
知財	特許出願を完了
共同研究先	大阪公立大学

薬剤耐性環境



➡ PXLRの投与

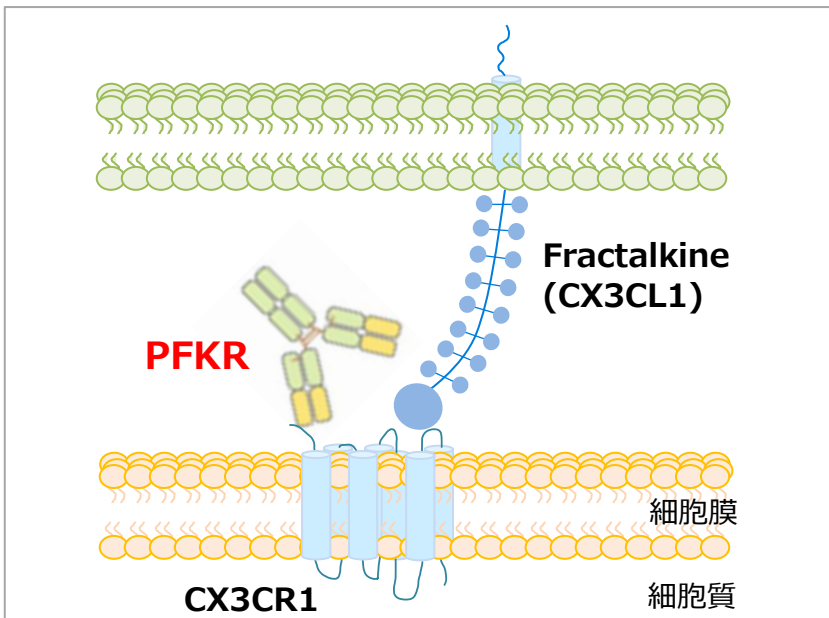
薬剤耐性環境が減弱



CXCL1/2/3/5はGタンパク質共役型受容体（GPCR）であるCXCR2のリガンドで、種々の腫瘍発生や形成過程に関与している。がん細胞はCXCL1/2/3/5により免疫抑制細胞をがん局所に呼び寄せ、薬剤耐性環境を構築する。PXLRはCXCL1/2/3/5に結合することで、がん細胞の薬剤耐性力を減弱させる。

PFKR (ヒト化抗CX3CR1抗体) 標的分子 : CX3CR1

特徴	Fractalkine (CX3CL1) receptorの機能阻害抗体であり、自己免疫性神経疾患等の病態進行を抑制する治療用抗体
想定適応疾患	二次進行型多発性硬化症 (SPMS) 等
期待	SPMSは難治性病型の多発性硬化症であり、安全性の高い有効な治療薬の開発が求められている疾患である。SPMSにおける病変 (脱髄、神経変性) に直接的に関わると考えられる細胞傷害性のEomes陽性CD4+T細胞の機能を抑制することで症状の進行を抑制する事を期待。
知財	特許出願を完了
共同研究先	国立精神・神経医療研究センター



CX3CR1はGタンパク質共役型受容体 (GPCR) の1種で、リガンドであるFractalkine (CX3CL1) がCX3CR1発現細胞の炎症局所への遊走を引き起こす。

SPMSにおける病変 (脱髄、神経変性) に直接的に関わると考えられる細胞傷害性のEomes陽性CD4+T細胞にはCX3CR1が多く発現。



- 2024年11月20日、当社と旭化成ファーマ株式会社との間で、当社の治療用抗体「ヒト化抗 CX3CR1 抗体（当社プロジェクトコード：PFKR）」について、独占的ライセンス契約を締結
- 当社は旭化成ファーマに対して PFKR の全世界における独占的な開発、製造および販売権をサブライセンス権付きで許諾

PFKR

全世界における独占的開発・製造・
販売権(サブライセンス付き)



AsahiKASEI
ASAHI KASEI PHARMA

当社が受領する経済条件

- ◆ 契約一時金: 2 億円
- ◆ 将来的な開発および販売の進捗に応じたマイルストーン
(最大約248億円)



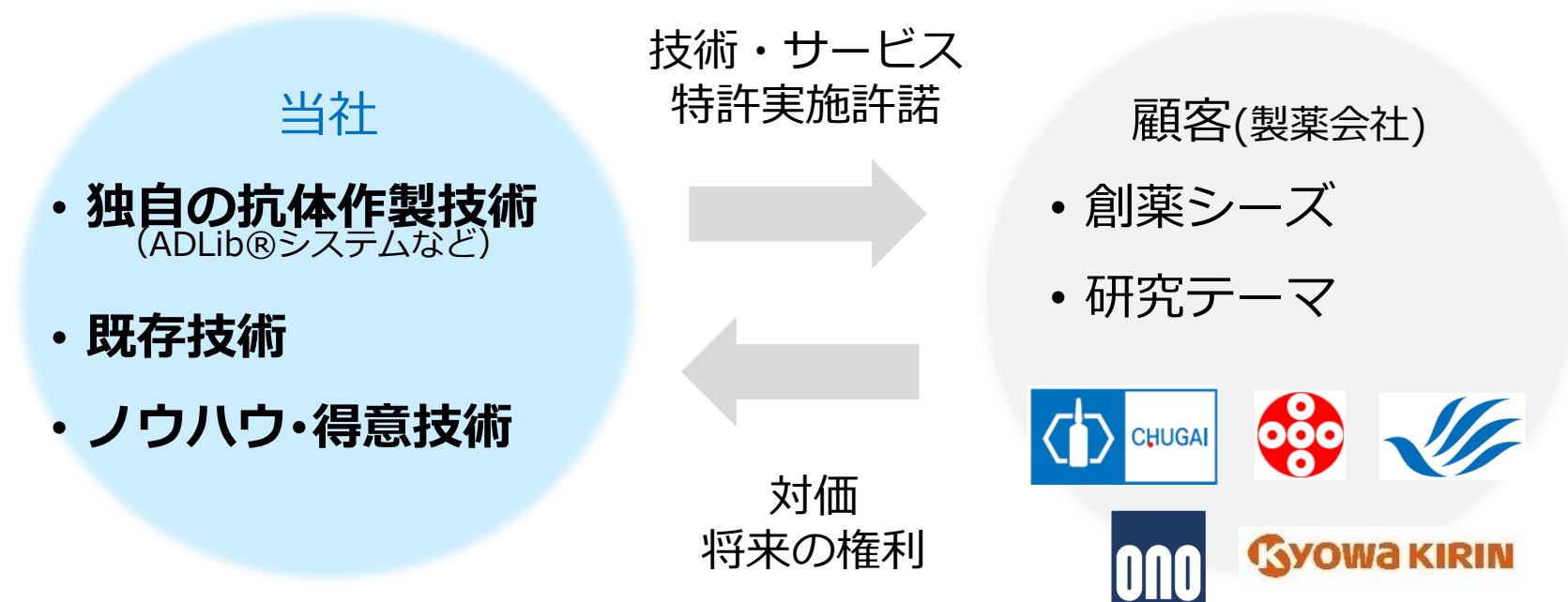
- ◆ 製品上市後
製品の売上高に応じたロイヤルティ



創薬支援事業



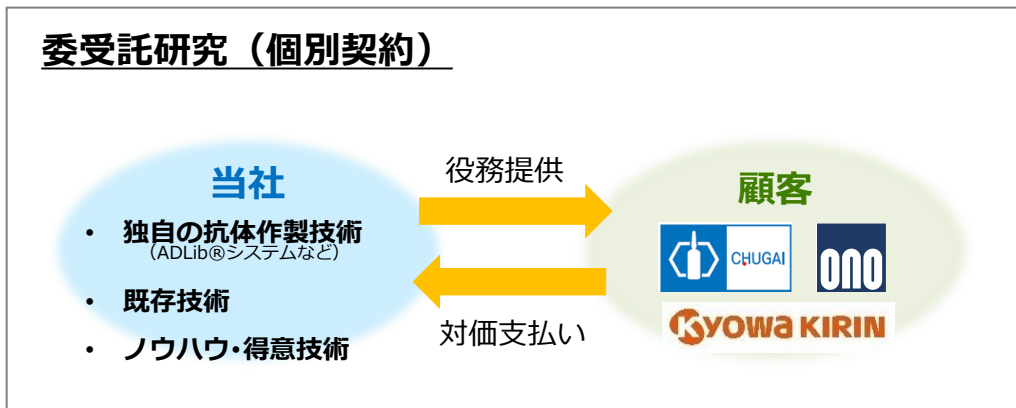
当社の独自技術やノウハウを用い、製薬会社の「サテライトラボ」として高付加価値のサービスを提供し、主として受託研究の対価を受領する。





研究投資資金の確保、副次的には将来の創薬ビジネスの機会拡大のための布石

委受託研究（個別契約）



第一ステップ

当社の研究基盤を活かした単発的な委受託研究を実施。技術、サービスを評価。

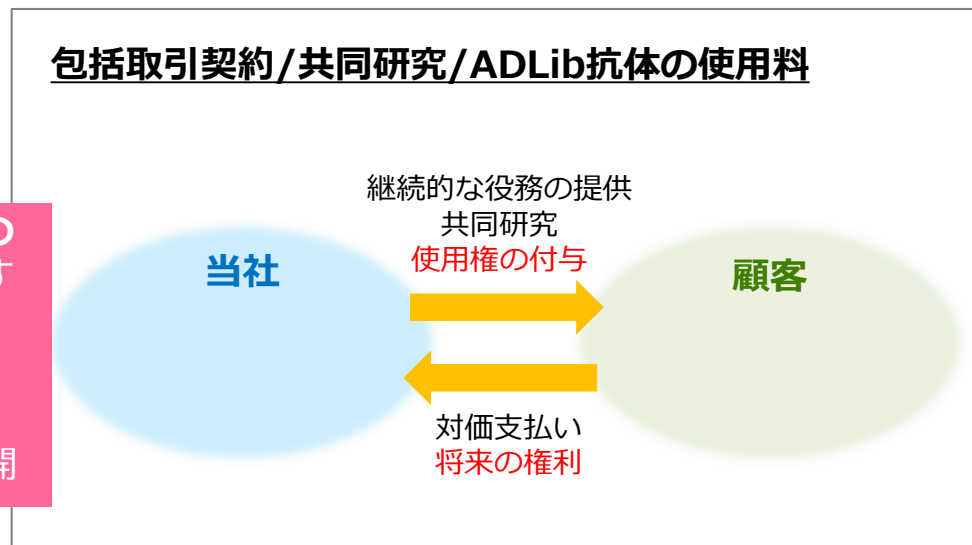
第二ステップ

単発の委受託契約を通じて、より発展的なコラボレーションの可能性を模索。

⇒創薬支援事業で培った技術や知識は抗体創薬の領域で高い付加価値を発揮。創薬技術が多様化する中、当社は製薬企業等の研究ニーズを鑑み CMC機能や臨床開発機能のノウハウも付加し、

2025年以降「IDD型ビジネス」として展開

包括取引契約/共同研究/ADLib抗体の使用料



※一部、社内リソースはIDDビジネスに投入

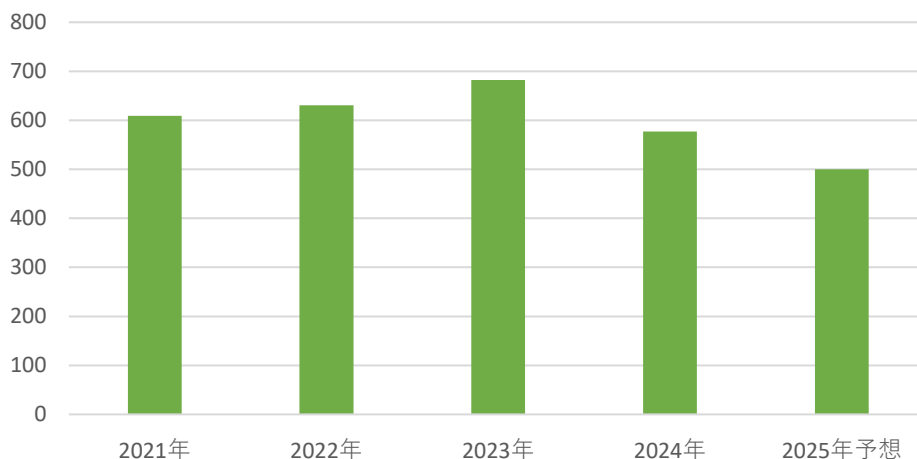
創薬支援事業の概況・主な取引先



国内製薬企業との取引を中心に継続的に事業継続。
製薬企業の“サテライトラボ”として当社技術力を活かした受託研究を展開。

(単位：百万円)

創薬支援事業売上高推移



本事業において当社は抗体作製のみならず、抗原調製や抗体親和性向上など、治療用抗体創製に必要となる技術・サービスを幅広く提供しております。

抗体作製・タンパク質調製に関する競合企業は多数ありますが、国内においてサテライトラボ型での抗体研究支援を展開する競合他社はありません。

※IDDビジネスへのリソース投入を見据え、2025年業績は保守的な予想に

	名称	契約類型	契約締結年月
主要な取引先	中外製薬株式会社	委受託包括取引	2011年 6月
	Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	委受託包括取引	2012年 8月
	小野薬品工業株式会社	委受託包括取引	2018年10月
	協和キリン株式会社	委受託包括取引	2019年 7月
	武田薬品工業株式会社	委受託包括取引	2024年 2月
販売提携	メルク株式会社	業務提携	2024年 9月
	富士フイルム和光純薬株式会社	業務提携	2024年12月



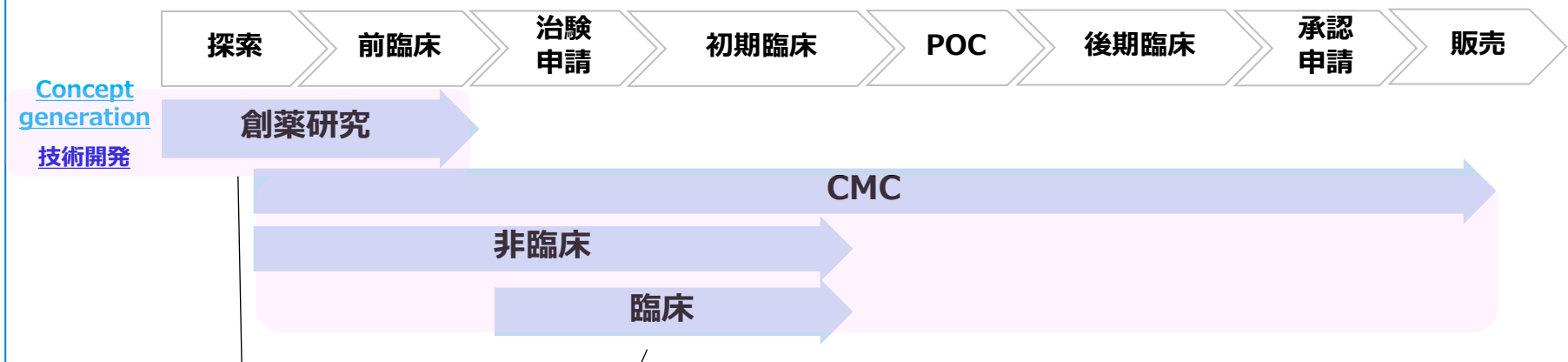
IDD (Integrated Drug Discovery) ビジネス

NEW



抗体創薬のプロジェクトをスクリーニング、in vitro/vivo評価、CMC、IND、初期臨床までを一気通貫で対応可能なプラットフォームを構築。医薬品として仕上げるための経験・know-howを用い、自社・他社の創薬シーズの事業化を推進する高い実務力を有する。

カイオムのCapability（組織的な強みとなる能力）



創薬研究		臨床開発	
抗体作製 ADLib®システム	抗体機能改変 親和性向上	臨床開発PM機能 臨床試験オペレーション	Clinical Trial
多価抗体作製 Tribody™	タンパク質調製	非臨床試験	
		バイオCMC開発 原薬製造 治験薬製造	

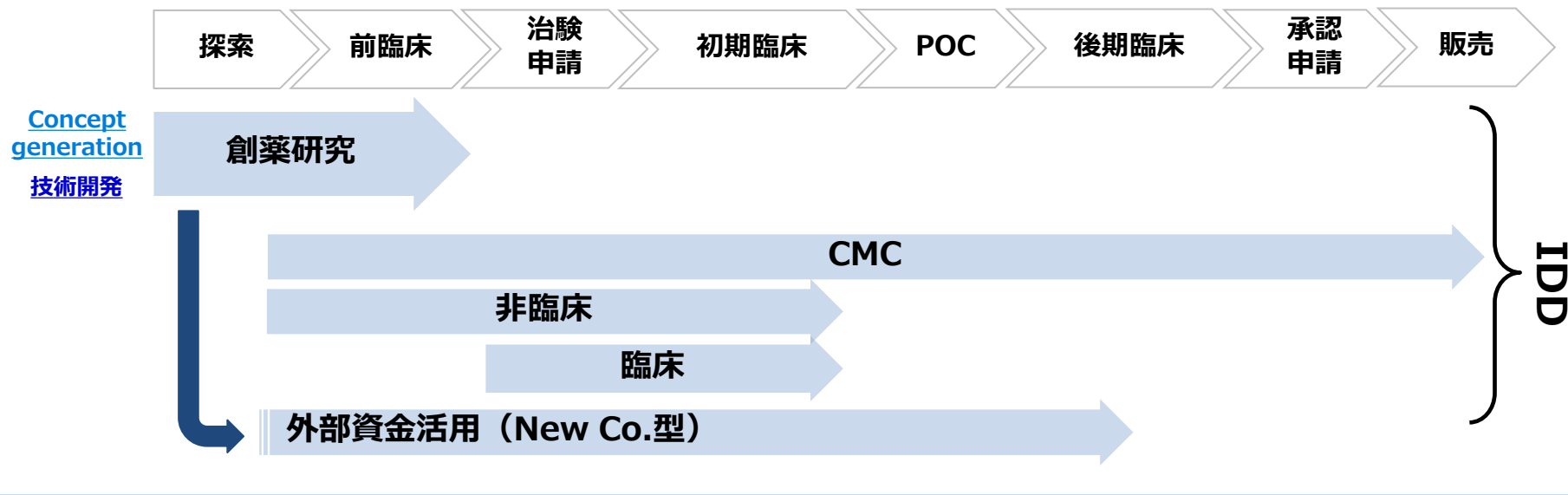
当社の優位性 = 抗体創薬のIntelligence

モノの目利き力
×
最速・最短で研究から臨床入りまで
仕上げることができる実務力



抗体創薬のプラットフォームビジネス

カイオムの創薬研究開発の経験知識・技術を元に、パートナーに様々な課題解決法を提供する。国内企業を中心に専門性不足・リソース不足により未着手となっている有望な抗体創薬研究に関するコラボを推進することで、対価を得るビジネスモデル。



国内企業を中心に専門性不足・リソース不足により未着手となっている有望な抗体創薬研究に関するコラボを推進

製薬会社

多様化するモダリティの中で、個別モダリティの専門性の維持確保が困難に

スタートアップ

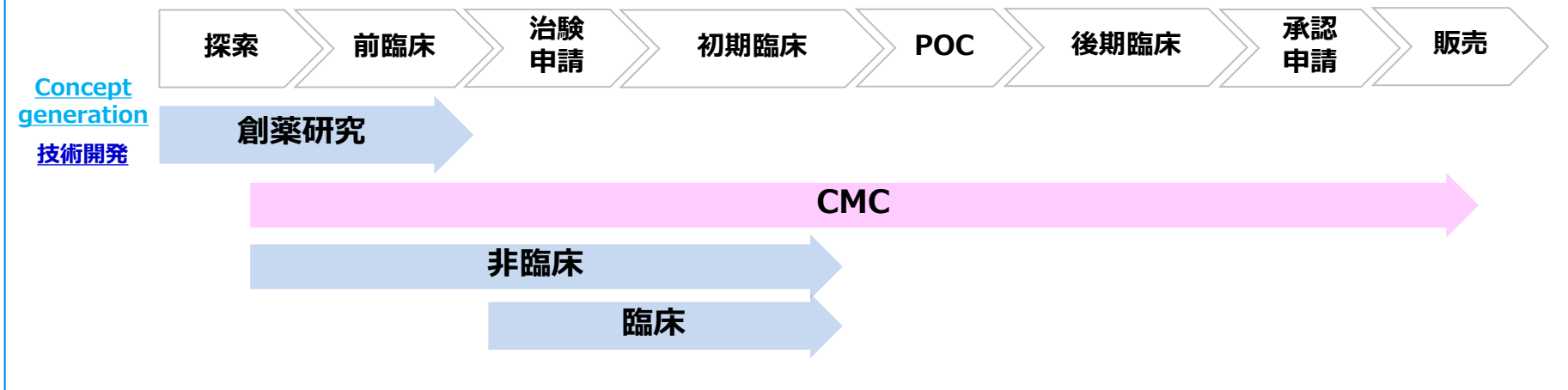
適切な開発ステップの実行能力を各社で個別に整える事には限界がある

IDD事業（バイオシミラー）



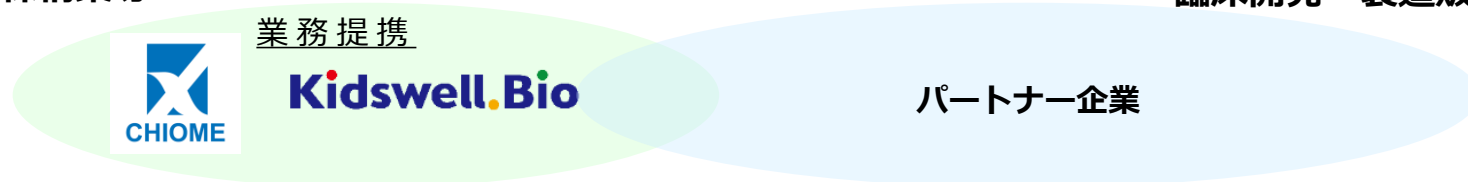
当社のCMC機能とそのIntelligenceを活かし、医療費の抑制にむけて国が積極的に普及を支援するバイオシミラービジネスを手掛ける。

カイオムの事業範囲



細胞株構築等

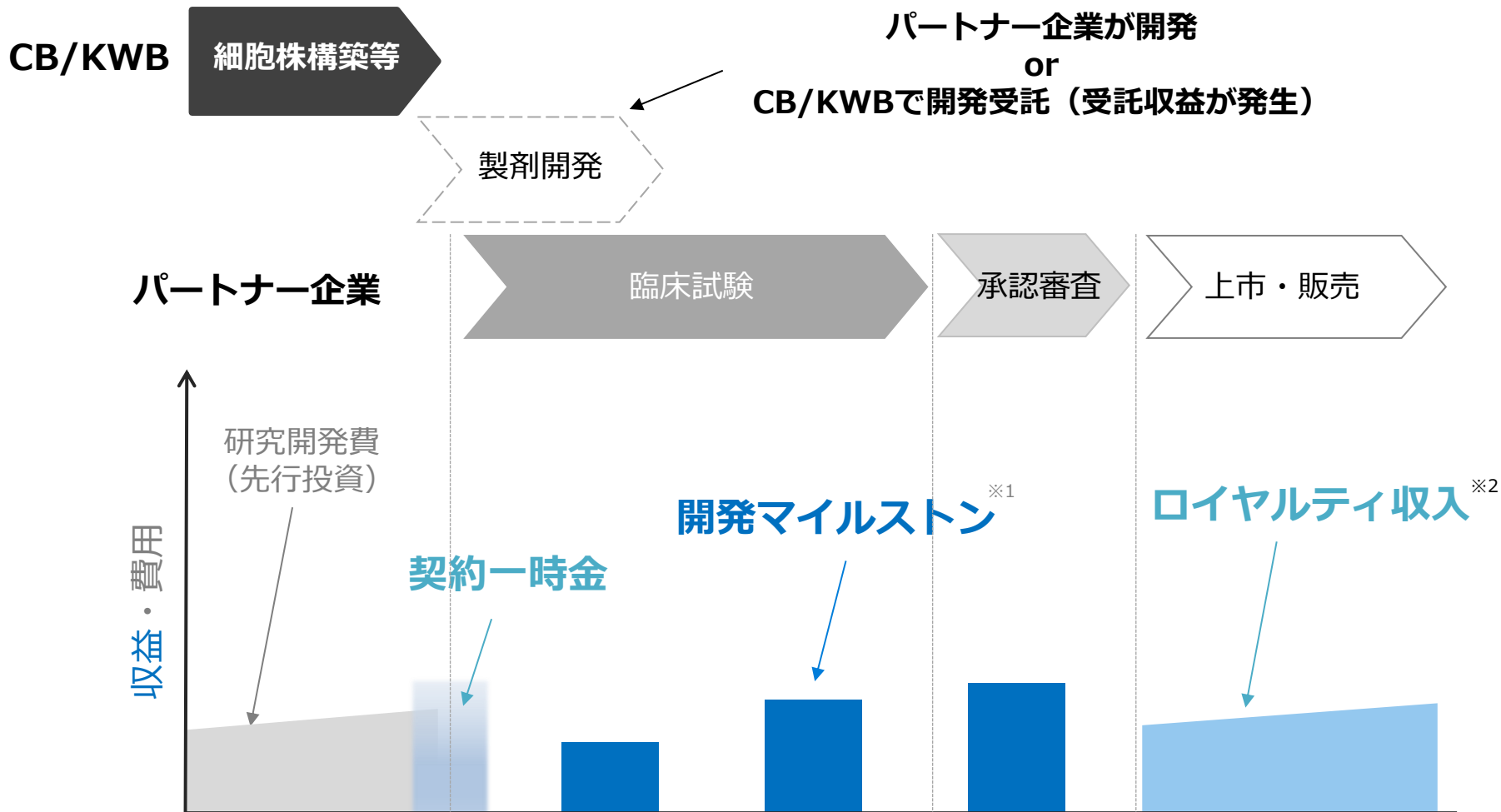
臨床開発・製造販売



バイオシミラー
医薬品の共同開発

- ・ 経営資源の有効活用
- ・ 開発費の分担
- ・ 獲得する収益のプロフィットシェア

バイオシミラー医薬品開発のビジネスモデル



CB : カイオム・バイオサイエンス

KWB : キッズウェル・バイオ

※1 マイルストーンとは：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。

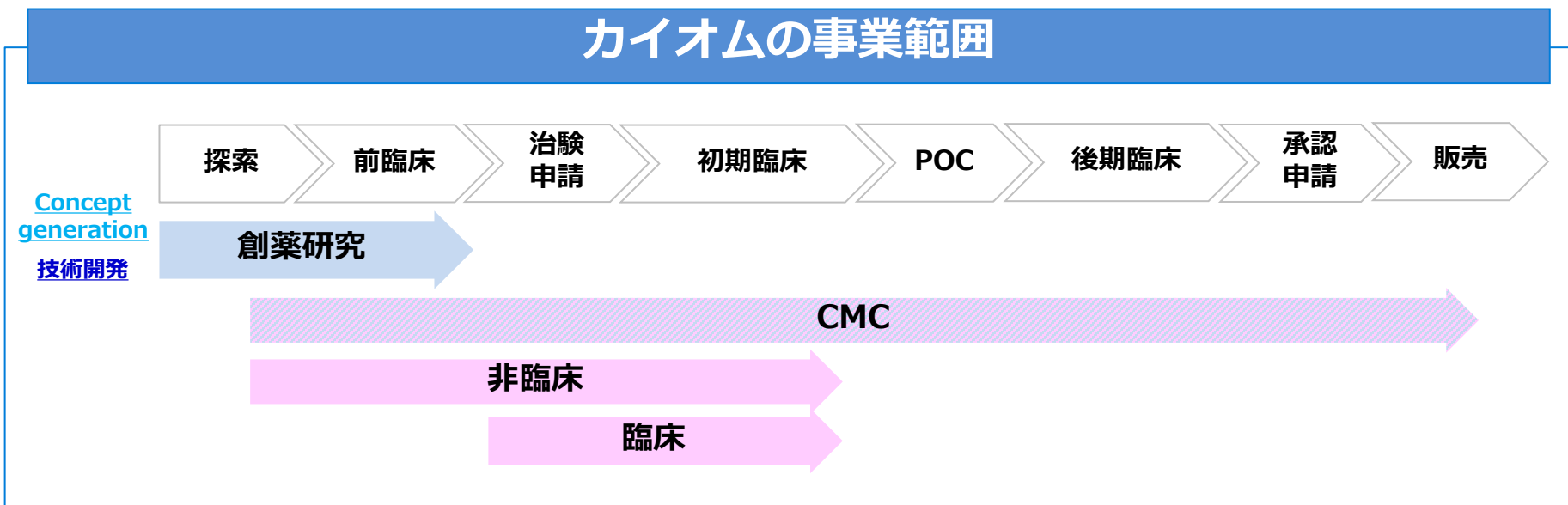
※2 ロイヤルティとは：製品が販売（上市）された後に、その販売額の一定比率を受領する収入のこと。

IDD事業（開発コンサルおよび創薬インキュベーション）



当社の臨床・非臨床、及びCMC機能を活かし、抗体創薬を中心としたシーズのインキュベーション、開発コンサルを手掛ける

カイオムの事業範囲



開発戦略・特許戦略立案等

臨床開発・ベンチャー投資



業務提携

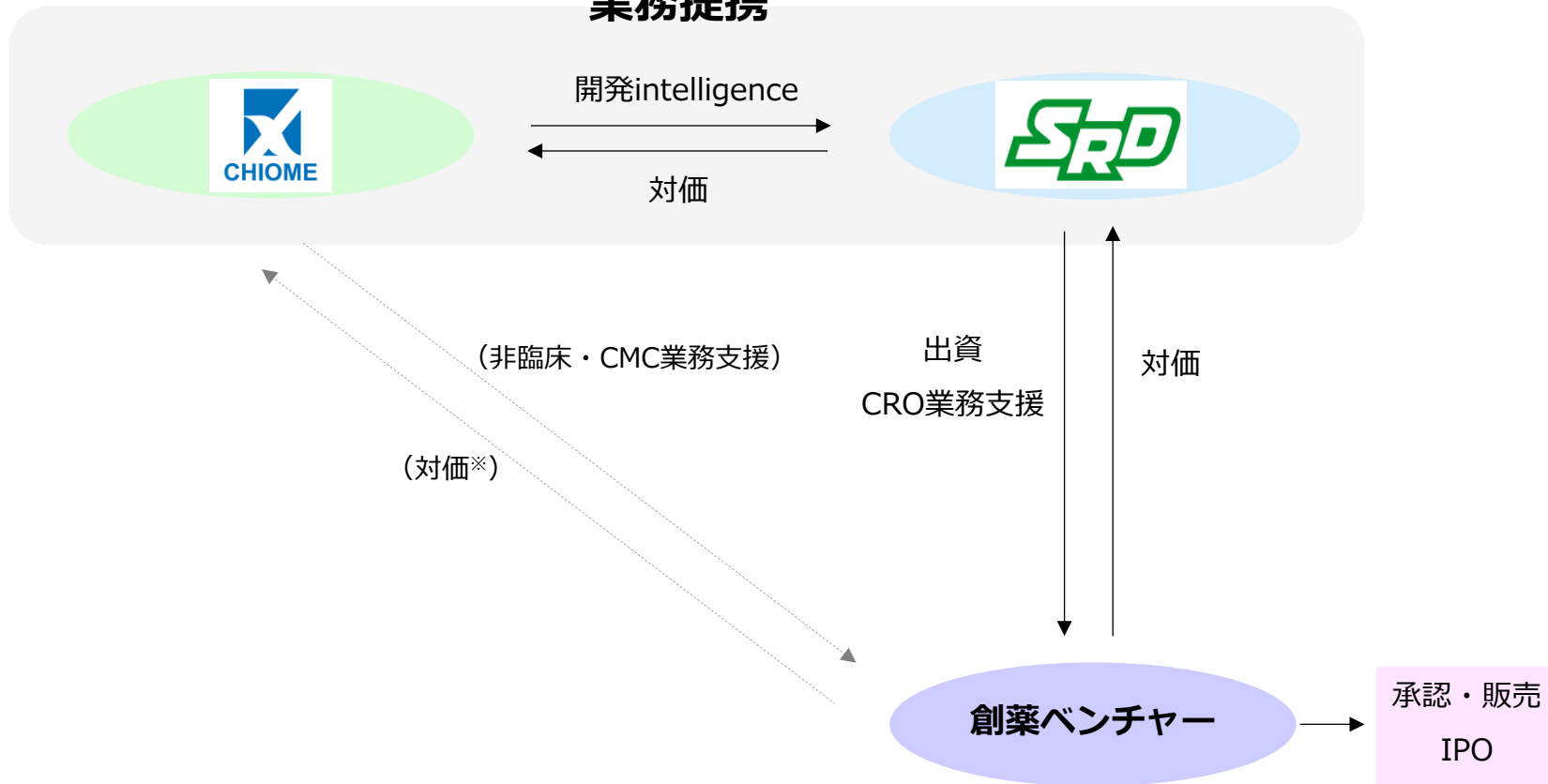


株式会社エスアールディと業務提携契約を締結

エスアールディが手掛ける創薬ベンチャー育成に当社の臨床・非臨床を中心とした創薬のIntelligenceを活かし、有望な企業・シーズの育成を通じた収益化を図る



業務提携



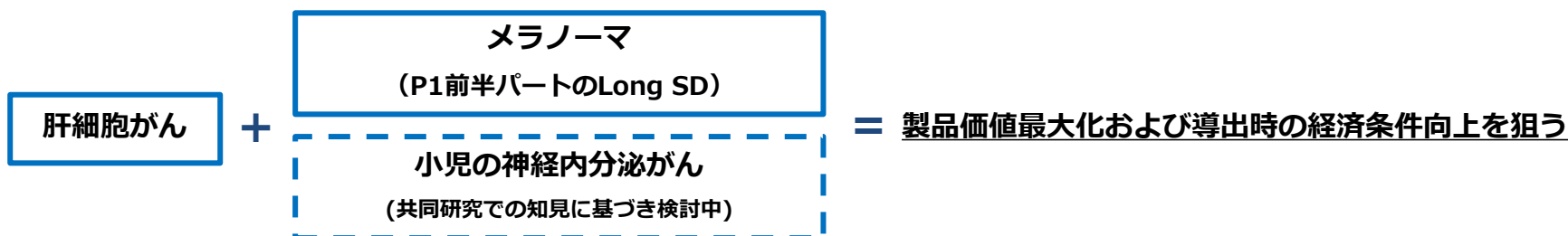
※支援に関するコンサルフィー、案件によっては将来的なマイルストーン・ロイヤルティの受領を想定



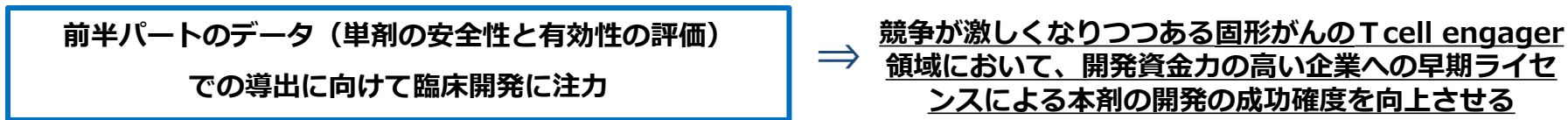
成長戦略等



CBA-1205（製品価値と導出時対価の最大化を狙うプログラム）



CBA-1535（単剤データのみでの導出を狙うプログラム）



上記の臨床開発プログラムについては、開発期間を延長することで製品価値の最大化後の導出や早期のライセンス契約の獲得を目指す。また、その他の非臨床段階のパイプラインについては、PFKR同様、パートナー企業への導出や提携を目指した導出活動を進める。



エクイティによる資金調達に過度に依存しない経営を目指し成長戦略を変更。

従来のビジネスに加えて当社のインテリジェンスを活かしたIDDビジネスを推進することで収益性を高め、当社の経営の安定化および企業価値の増大を図る。

2024年まで

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、企業価値向上を目指す



2025年以降

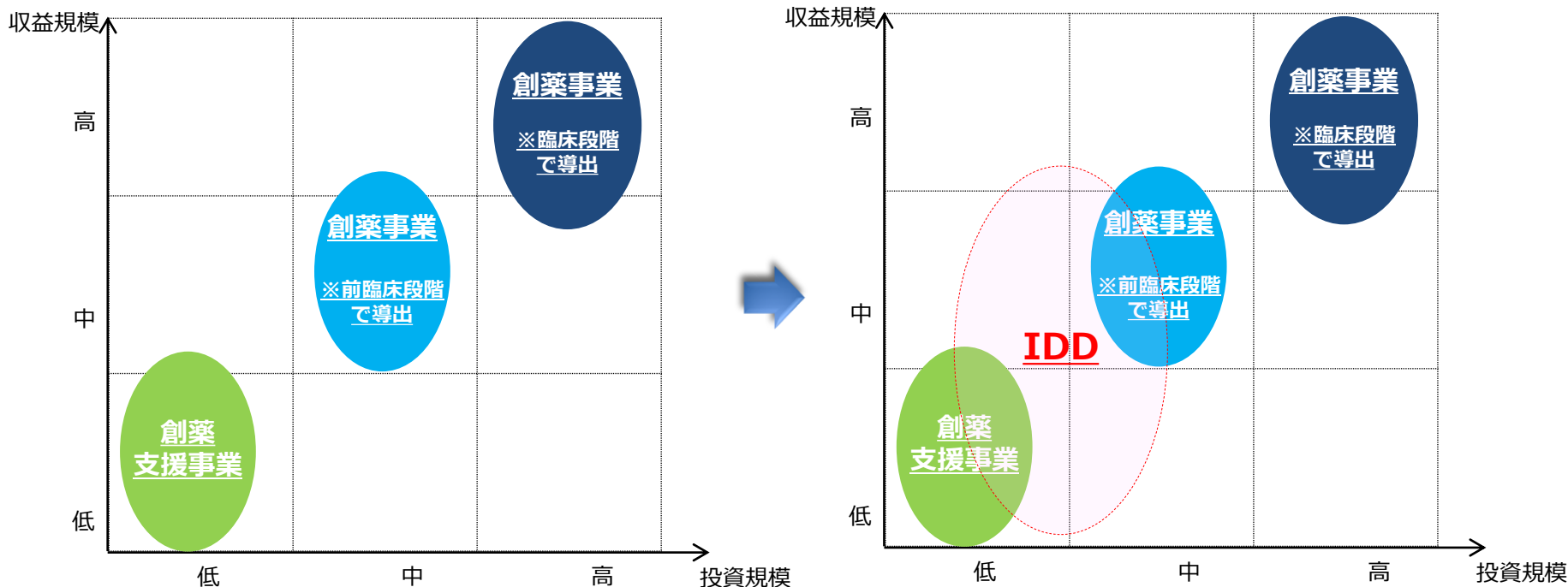
自社および社外のヒト・モノ・カネ・情報を有機的に繋げることにより、アンメットニーズに対する抗体医薬品候補の継続的な創製を通じて、収益性の強化とリスク分散の両立と企業価値向上を目指す

当社の事業セグメント



創薬事業と創薬支援事業に加え、2025年に抗体創薬にかかるプラットフォーム型ビジネスであるIDD（Integrated Drug Discovery）ビジネスを立ち上げる。

各ビジネスのリスク/リターン



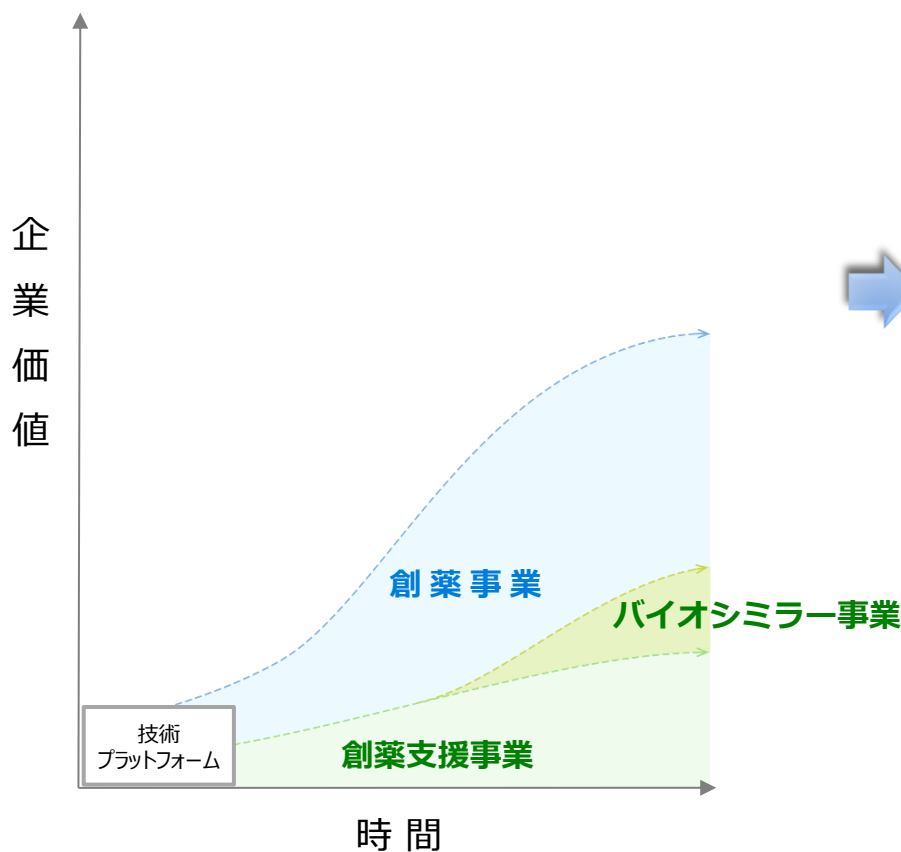
創薬支援	IDD NEW	創薬
当社の保有する抗体創薬技術プラットフォームを活用した抗体作製・抗体エンジニアリングおよびタンパク質調製を提供する“高付加価値型受託研究ビジネス”。	製薬企業等のパートナー企業の様々な研究開発ニーズに対して自社知識経験・技術に基づく解決法を提供し、共同で抗体創薬の研究開発を進め、マイルストーン収入を獲得していく事業。	抗体創薬の自社開発または共同開発を行い、その成果物である抗体に関する特許権等の知財権を製薬企業等に実施許諾し、契約一時金、マイルストーン、およびロイヤルティ等の収入を獲得していく事業。

当社成長のイメージ（変更）

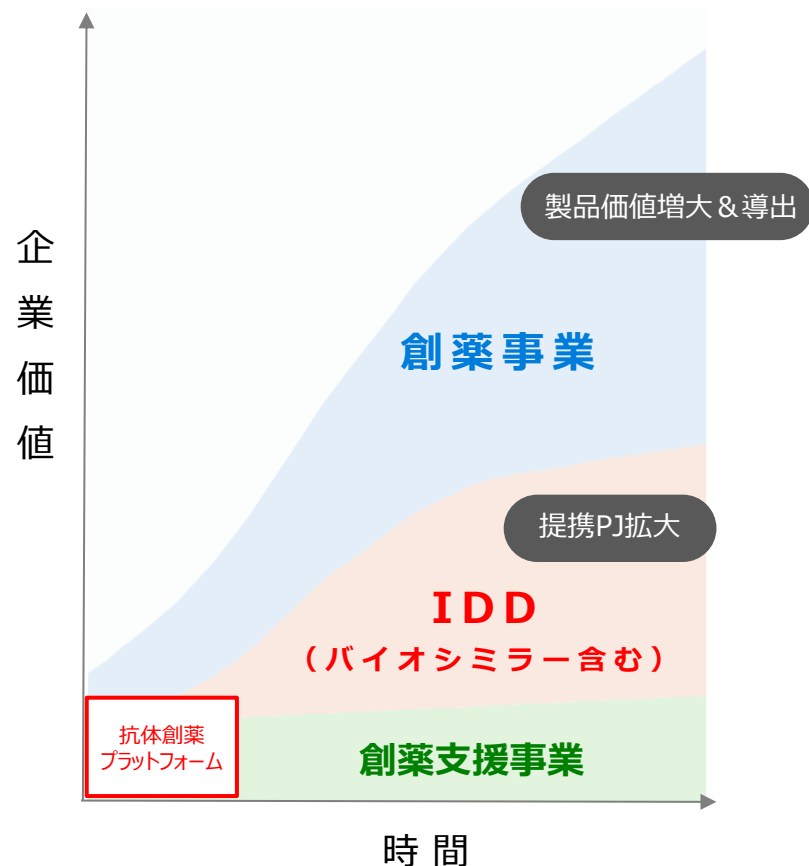


従来の創薬事業・創薬支援事業に加えて当社のインテリジェンスを活かしたIDD型ビジネスを推進することで収益性を高め、当社の経営の安定化および企業価値の増大を図る。

～2024年



2025年～





【創薬事業】

CBA-1205の適応症拡大により製品価値向上を目指したコホートの追加、およびCBA-1535のP1試験単剤パートのデータによる導出を見据えた開発期間延長の決定に伴い、本パイプラインの導出一時金獲得を前提とした2025年の単年度黒字計画は見直しへ。

【新規事業】

当社創薬力を生かした収益力の拡大にむけてIDD型ビジネスを本格的に推進。 他社との戦略的提携等を推進する。



創薬支援事業・IDD型ビジネスの事業収益を通じて当社の創薬事業における研究開発投資資金の確保を進めるとともに、従来の新株予約権を用いた資金調達のみならず、新規事業を展開時には提携パートナーとの資本提携等のエクイティファイナンスを有効活用した事業資金確保や事業深耕、企業成長に向けた取り組みを推進する。



第21・22回新株予約権による資金調達の状況

	第21回新株予約権	第22回新株予約権
	(2024年7月5日発行決議)	
調達額	1,407百万円	
行使株数	10,170,000株	1,100,000株
行使進捗率	100%	100%

(単位：百万円)

第20/21回新株予約権 資金使途	当初調達額	充当額
① バイオシミラー医薬品の細胞株構築等	250	250
② 次世代抗体作製技術の事業化と新規創薬パイプライン創出にむけた創薬研究、及び事業運転資金	1,157	1,143
	1,407	1,393

⇒ 上記資金調達により獲得した資金は当社の企業価値拡大に資する研究開発投資に対して着実に充当を進める

今後の見通し（2025年-2026年）

更新

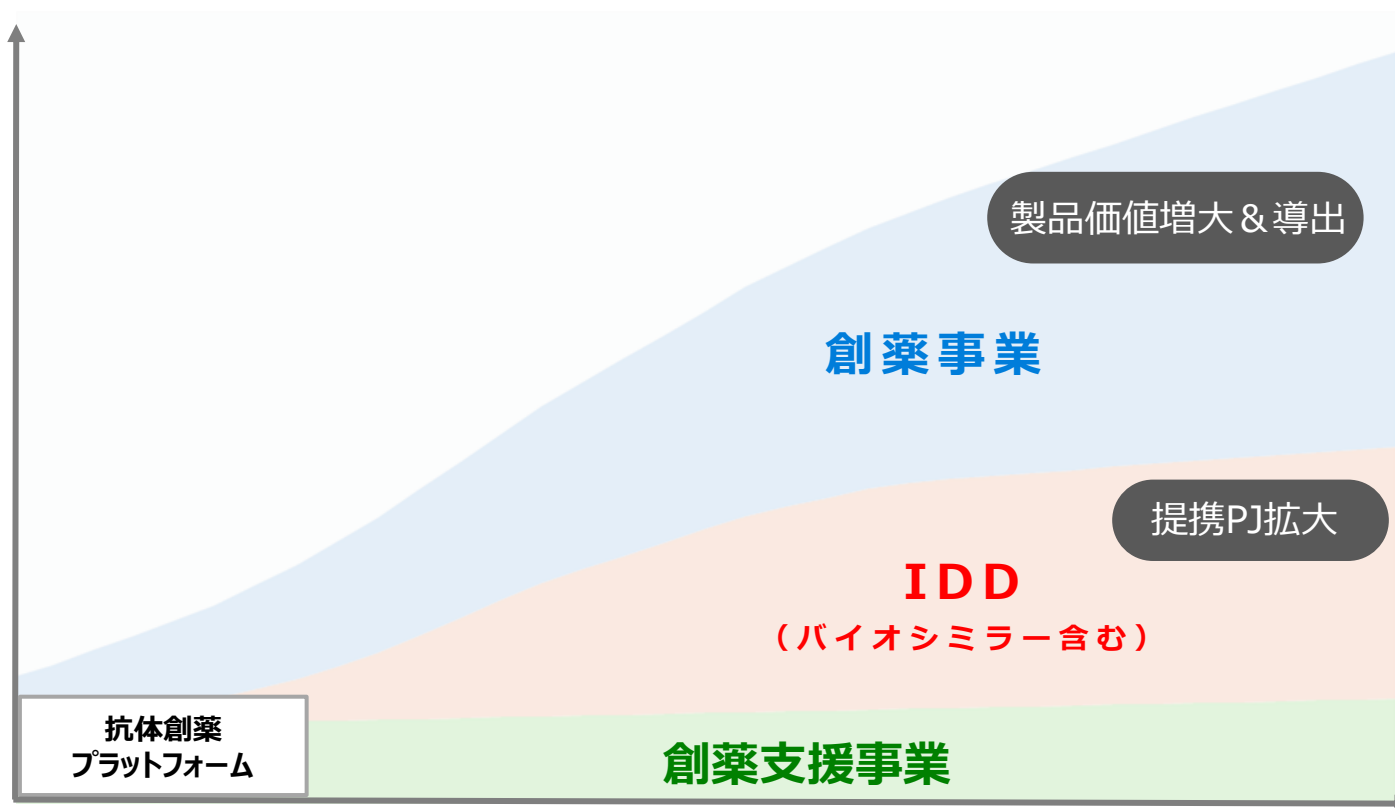


事業	プロジェクト	見通し	2025-26年 投資予定額
創薬事業	CBA-1205	<ul style="list-style-type: none"> 臨床第1相試験において、肝細胞がん・メラノーマの患者さんにおけるPR症例獲得を狙う。 上記に加え、小児の神経内分泌がんでの開発を検討。 本剤の安全性データ、肝細胞がん・メラノーマ等での薬効データを用いて導出時の製品価値最大化へ。 	3.5億円
	CBA-1535	<ul style="list-style-type: none"> 臨床第1相試験前半パート（CBA-1535単剤）での安全性の確認。 前半パートでの安全性および薬効シグナルの確認後、単剤パートのデータのみで導出活動へ。 	4.3億円
	PTRY	CBA-1535の開発・導出方針を踏まえて、導出活動に注力。	5.3億円
	PCDC	抗CDCP-1抗体その薬物複合体の薬効等のデータを導出データパッケージとし、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への導出活動を推進。	
	PXLR	これまでに取得したデータを活用し、本抗体の新たな導出機会を探索。	
	その他創薬PJ	AMED等の公的機関と連携し、新規シーズ探索とテーマ立ち上げを行い、継続的な創薬パイプライン創出と事業化を推進する。	
		ADCT-701	米国国立がん研究所（NCI）において、臨床第1相試験の実施。
	PFKR	旭化成ファーマにおいて、今後の開発計画等の検討。	—
創薬支援事業		外部リソースを使った新規顧客の開拓と既存顧客との取引を着実に遂行。	0.5億円
IDD型ビジネス バイオシミュレーション		キッズウェル・バイオ社とともに国内パートナー企業とBSビジネスを進めるための協議を進めるとともに、新規BS製品開発にむけた細胞株構築に着手。	2億円
IDD型ビジネス 開発コンサル		イスアールディ社との業務提携下で、同社が手掛けるプロジェクトの開発支援等を推進。	—
技術プラットフォーム		次世代抗体型作製技術の開発により当社の創薬力を強化、抗体創薬プラットフォームとしての競争優位性を維持・確保するとともに、IDD型ビジネスのコア技術として実装へ。	3.8億円

研究開発投資についてはCBA-1205/1535の臨床開発製品で複数開発が進む2025年がピークとなることを見込む。



自社および社外のヒト・モノ・カネ・情報を有機的に繋げることで、アンメットニーズに対する抗体医薬品候補の継続的な創製を通じて、収益性の強化とリスク分散の両立と企業価値向上を目指す






その他の情報



1. ライセンス契約

提携先/時期	当社PJコード	経済条件	範囲およびライセンスの内容
 2024年11月～	PFKR	<ul style="list-style-type: none"> ・ 契約一時金: 2 億円 ・ 将来的な開発および販売の進捗に応じたマイルストーン (最大約248億円) ・ 製品の売上に応じたロイヤルティ 	当社は旭化成ファーマに対して PFKR の全世界における独占的な開発、製造および販売権をサブライセンス権付きで許諾

2. 創薬支援事業 業務委受託契約

顧客名	概要	期間
中外製薬 	効率的な抗体医薬品の開発に必要な研究材料の調製等の業務	2011年 7 月 1 日–2025年12月31日
CPR (Chugai Pharmabody Research)	効率的な抗体医薬品の開発に必要な研究材料の調製等の業務	2012年 8 月 1 日–2026年12月31日
小野薬品工業 	新規抗体作製および抗原・タンパク質調製等の業務	2018年10月 1 日–2025年 3 月31日 (以後、半年毎の自動更新)
協和キリン 	新規抗体作製および抗原・タンパク質調製等の業務	2019年 7 月29日–2025年 7 月28日 (以後 1 年毎の自動更新)
武田薬品工業	新規抗体作製等の業務	2024年2月13日 – 2026年 2 月12日 (以降 1 年毎の自動更新)



基盤技術およびリード抗体の基盤特許、物質特許を保有または出願中

基盤技術に係る主要特許

対象	発明の名称	登録状況
ADLib®システム	ヒト抗体を産生する細胞（ヒトADLib®システム）	日本・欧州・中国で成立。
	抗体の取得方法	日本・米国・欧州・中国で成立。
	抗体可変領域の多様化を促進する方法	日本・米国・欧州・中国で成立。

リード抗体に係る主要特許

対象	内容	発明の名称	登録状況
CBA-1205 (ADCT-701)	物質特許	in vivoで抗腫瘍活性を有する抗ヒトDlk-1抗体	日本・米国・欧州、中国を含む7カ国で成立。
CBA-1535	物質特許	5T4及びCD3に対する3つの結合ドメインを含む融合タンパク質	日本・米国・欧州・英国・中国を含む10カ国で成立。
PCDC	物質特許	抗CDCP1抗体	日本・中国で特許成立。 米国・欧州他で出願中。
PTRY	物質特許	融合タンパク質	PCT出願済
PFKR	物質特許	抗ヒトCX3CR1抗体	PCT出願済
PXLR	物質特許	抗ヒトCXCL1抗体	PCT出願済

財務概要（2024年12月期）



貸借対照表	(百万円)	2023年12月期末	2024年12月期末
	流動資産	1,629	2,337
	（現預金）	1,325	2,063
	（その他）	303	274
	固定資産	122	131
	資産合計	1,751	2,468
	流動負債	539	493
	固定負債	54	55
	負債合計	593	548
	純資産合計	1,157	1,920
	負債・純資産合計	1,751	2,468

損益計算書	(百万円)	2023年12月期	2024年12月期
	売上高	682	780
	（創薬事業）	-	202
	（創薬支援事業）	682	577
	売上原価・販管費	1,887	1,811
	（研究開発費）	1,051	936
	（その他）	835	874
	営業損失（△）	△1,205	△1,030
	経常損失（△）	△1,217	△1,019
	当期純損失（△）	△1,220	△1,020



当社における主要なリスク

研究開発・事業化に関連した「医薬品開発の不確実性」「提携先の開発に依存」

主要なリスク	発生可能性	発生時期	影響度
医薬品研究開発の不確実性に関するリスク			
医薬品の開発には多額の研究開発投資と長い時間を要し、その成功確率も他産業に比して低い状況です。当社の創薬パイプラインにおいても研究開発の不確実性に関するリスクにより研究開発の遅延や中止となる可能性があります。	中	中長期	中
提携先の開発に影響されるリスク・収益計上に関するリスク			
導出品の開発は導出先の製薬企業に依存するため、当該導出先において順調に臨床試験が進まない場合や経営方針の変更などの要因が発生した場合には、当該医薬品の開発遅延、あるいは開発中止により当社との導出契約が終了する可能性があります。その場合、当初契約していたマイルストーン収入が計上できず当社の事業に影響を及ぼす可能性があります	小	中長期	中

リスク対応策

当社の抗体創薬プラットフォームを用い、新しい医薬品候補の継続的な創製に取り組んでおります。複数の創薬パイプラインを創製・導出・その他の事業化手法を通じて、研究開発の遅延や中止リスクに対するリスク分散を行っております。また、創薬パイプラインの導出による事業化のタイミングは「自社での初期臨床開発後」と「前臨床開発段階」の異なる研究開発ステージでの契約締結を組み合わせ、限られた研究開発資金を効率的に配分し、収益力の最大化と同時に経営リスクの分散も図っております。さらに、受託研究、共同研究開発やIDD型ビジネス下での提携を進め、創薬以外の領域でも当社の収益性を高める経営を推進しております。

※上記以外のリスク情報は、当社有価証券報告書をご参照下さい。



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 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る。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がん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。
- 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。
- 次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は2025年3月を予定しております。また、当社の経営方針に重要な変更があった場合には、別途開示することを想定しております。