

平成 30 年 12 月 14 日

各 位

会 社 名 株式会社カイオム・バイオサイエンス  
代表者名 代表取締役社長 小林 茂  
(コード：4583 東証マザーズ)  
問合せ先 取締役経営企画室長 美女平 在彦  
(TEL. 03-6383-3746)

### 個人投資家向け会社説明会開催のお知らせ

当社は、本日、日本証券新聞主催の「個人投資家向けバイオベンチャーIR セミナー」に参加し、会社説明会を実施いたしますのでお知らせいたします。

#### 記

##### ・開催概要

日 時： 2018 年 12 月 14 日（金） 15:00～15:30  
会 場： 東京証券会館 8階ホール  
登壇者： 代表取締役社長 小林 茂  
内 容： ① 会社概要説明  
② 事業戦略、当社の取り組みなど  
③ 質疑応答

##### ・資料

別添の説明会資料をご参照ください。

以 上



証券コード：4583

# 株式会社カイオム・バイオサイエンス 会社概要説明

日本証券新聞バイオベンチャーIRセミナー  
2018年12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



## 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

(2018年12月14日現在)

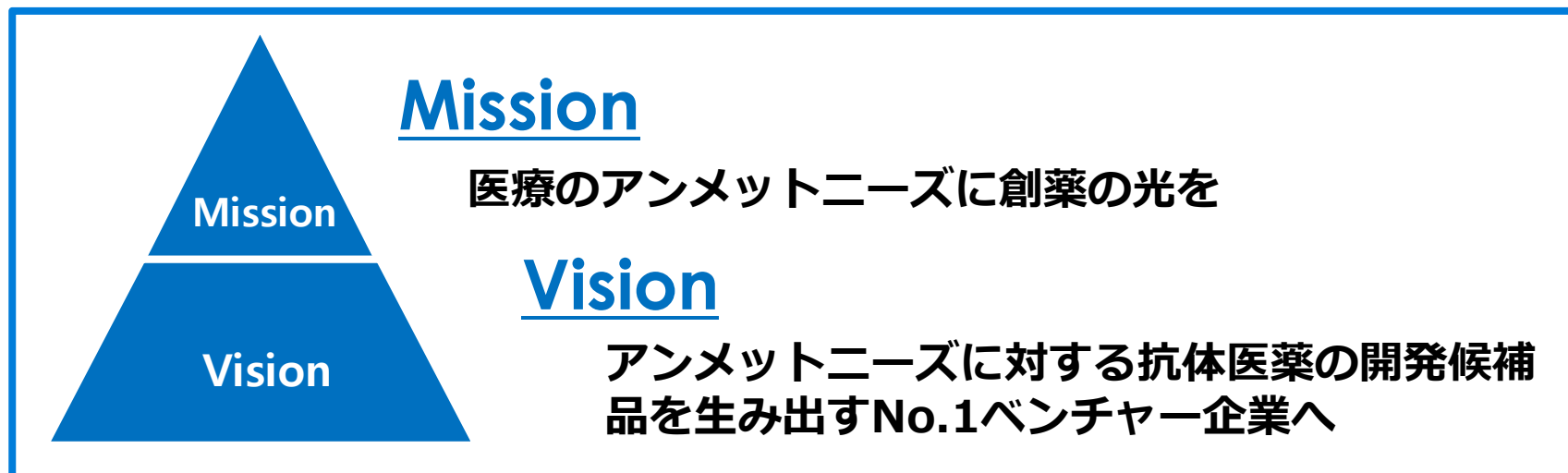
- 設立：2005年2月
- 上場：2011年12月東証マザーズ (4583)
- 代表：小林 茂



協和発酵工業（株）（現・協和発酵キリン（株））、Kyowa Hakko UK Ltd.社長、  
Kyowa Pharmaceutical, Inc.（現・Kyowa Hakko Kirin Pharma Inc.）社長、当  
社取締役を経て、現任

- 本社：東京都渋谷区（本社機能及びラボ）
- 従業員：49名（研究員36名 うち博士号保有者 19名）
- 事業内容：抗体医薬品の研究開発等






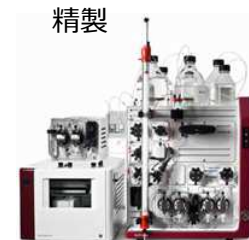
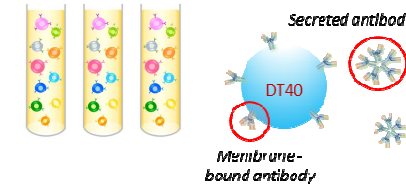

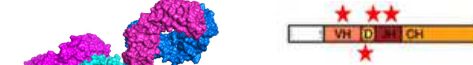


## 経営方針

- 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。



当社の強み

## Chieme's mAb Discovery Engine

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 精製</p>  <p>Membrane proteins</p>	<p>ADLib®システム</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>多価抗体作製</p>  <p>試験用抗体生産</p> 

「抗体作製技術」を保有するだけでなく、抗体作製に必要な「タンパク質調製機能」や抗体の機能を向上させる「抗体エンジニアリング能力」を有し、これら技術を駆使することで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。



## 成長投資と安定収益確保のハイブリッド型ビジネス

### 技術コア Chioime's mAb Discovery Engine

#### 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

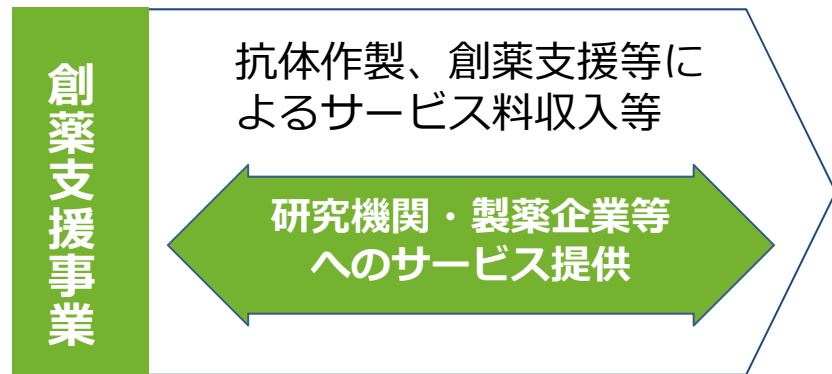
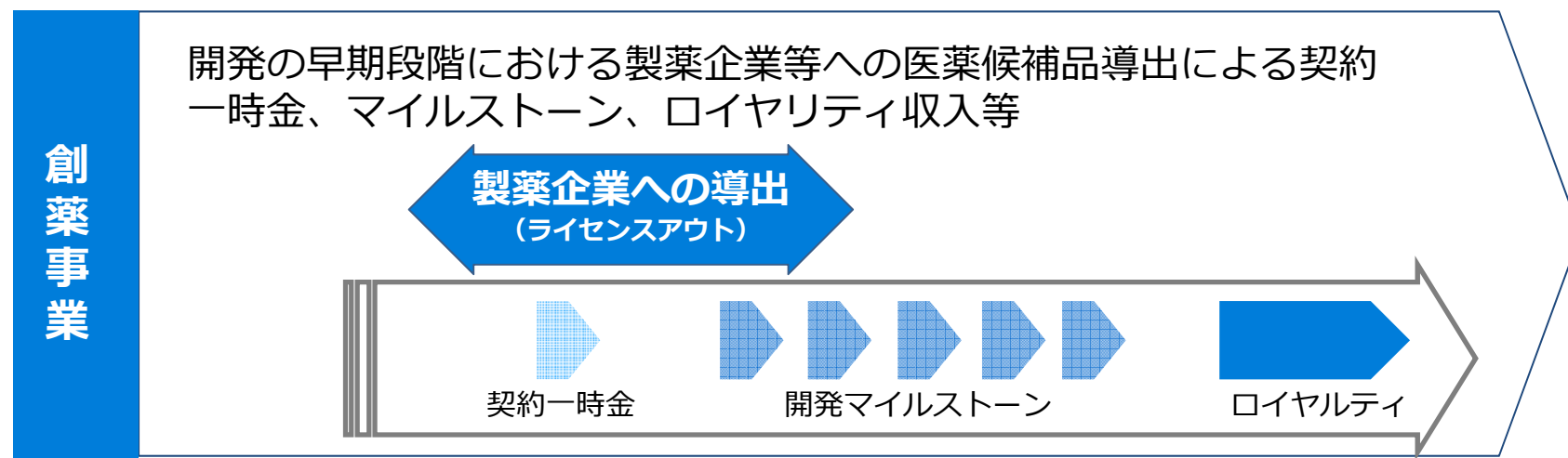
- ・抗体作製  
(ADLib®法/B cell cloning 他)
- ・抗原タンパク質調製
- ・抗体供給

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、  
まだ見ぬ治療薬を待つ患者さんへ貢献する



## 一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル



すべての革新は患者さんのために

中外製薬株式会社 | 田辺三菱製薬

ロシュグループ | TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.

Innovation all for the patients  
CHUGAI PHARMABODY RESEARCH PTE. LTD

KYOWA KIRIN | 小野薬品工業株式会社  
協和発酵キリン株式会社

国内抗体医薬のリーディング企業との取引





## 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				2017.9~ 

## 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				自社開発中
<b>New</b> Tb-535H	5T4×CD3 ×5T4	がん				2018.12 新規取得
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				導出活動中
BMAA	SEMA3A	糖尿病黄斑 浮腫、他				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 (8件※)	非開示	がん 感染症 希少疾患				—

※ 2018年12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。





## 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

- ✓ ADC Therapeutics社に導出(2017年9月)\*、臨床開発に向けた前臨床試験の最終段階が順調に進捗し、2019年後半にも臨床試験の実施が見込まれる。

\*ADC Therapeutics社との契約（ライセンス契約）

ADC(Antibody Drug Conjugate：抗体薬物複合体)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。

### **解決すべきアンメットニーズ**

**DLK-1を発現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。**

2018年4月米国がん学会（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：

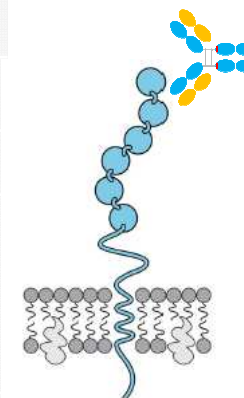
ADCT-701は、DLK-1を発現する癌モデルのin vitroおよびin vivoの試験において、強力かつ特異的な抗腫瘍活性を示し、ラットモデルで優れた血中安定性と忍容性が示された。

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



## 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

経緯	2015年に当社が吸収合併した(株)リブテックで創製されたマウスハイブリドーマ法で取得した抗体。
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。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) が完了。
- ✓ 本年9月に臨床開発部を発足し、現在、臨床開発契約の検討及びCRO選定を実施。2020年以降、臨床試験開始予定。

### 解決すべきアンメットニーズ

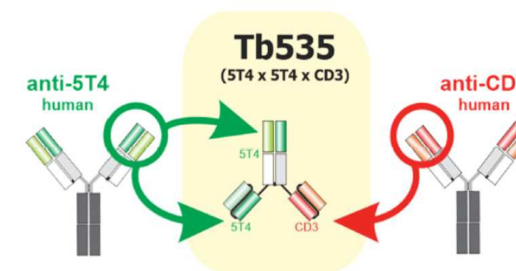
肝細胞がんを始めとした有効な治療薬がない悪性度の高い腫瘍に対する新たな治療薬を提供する。



## Tb-535H (ヒト化抗5T4・抗CD3二重特異性抗体) 標的分子：5T4×CD3×5T4

経緯	英国Biotechnol社が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、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）のがん抗原とヒト化CD3抗体をTribodyプラットフォームに載せて多価抗体とすることで薬効・安全性を高めた開発が期待される。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許出願中

- ✓ 2018年12月、英国バイオテック企業Biotechnol社から、がん治療用抗体「Tb535H」と抗体改変技術「Tribody™」を資産譲受により当社が取得
- ✓ T Cell engager



### 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。



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

経緯	2015年に当社が吸収合併した（株）リブテックで創製されたマウスハイブリドーマ法で取得した抗体。
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複数報告されている分子。 naked抗体に加えてADC（抗体薬物複合体）等の強い薬効を期待した開発を狙う。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許成立。

- ✓ これまでに取得したIn vivo試験のデータで構築されるデータパッケージを用い、海外の製薬企業を中心に導出活動中。

### 解決すべきアンメットニーズ

薬物等との複合体により、TROP-2が発現する腫瘍に対して先行品で十分な治療できない患者さんに対する治療薬を提供する。



**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

経緯	当社独自の抗体作成技術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）
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・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。

\*カナダのバイオテック企業SemaThera社との契約

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黄斑浮腫に対し、従来の治療薬が効かない患者さんに対する新たな薬剤治療法の提供**



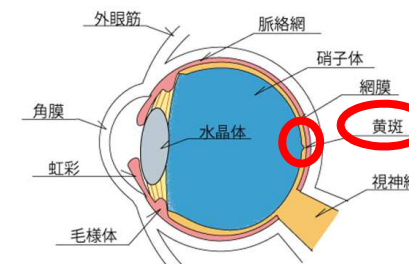
**BMAA（ヒト化抗セマフォリン3Aモノクローナル抗体）**

標的分子：SEMA3A

**糖尿病網膜症・糖尿病黄斑浮腫とは**

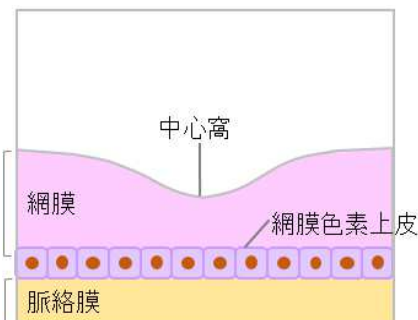
- 糖尿病網膜症は、糖尿病腎症・神経症とともに糖尿病の3大合併症のひとつで、日本では成人の失明原因の第一位。
- 糖尿病網膜症は、血糖値の高い状態が続くことで、網膜の血管が傷ついたり詰まったりして起きる病気。自覚症状がないまま進行する。
- 糖尿病黄斑浮腫は、網膜の血管にこぶができたり血管から血液中の成分が漏れ出し網膜内に溜まっている状態。黄斑浮腫は、網膜症の病期に関係なく発症しその進展に伴って著しい視力障害が生じる。  
（黄斑は網膜中心部の視力の鋭敏な部分）

<眼球の断面図>

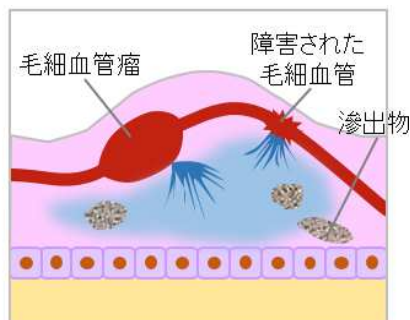


<黄斑浮腫の症状と見え方>

■ 正常な黄斑部



■ 糖尿病黄斑浮腫



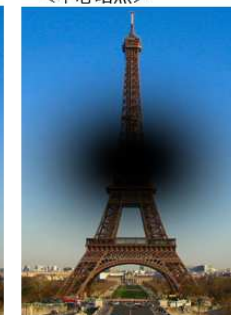
<正常>



<ゆがみ>



<中心暗点>







## 創薬研究プロジェクトの状況

- ✓ パイプライン拡充のために国内研究機関と連携をしながら、アンメットニーズが存在する疾患領域での共同研究を実施。
- 現在、8つの創薬研究プロジェクトを走らせているが、今後はこの中から有望なものに集中的に資源を投下することによって早期ステージアップおよび導出を狙う。

## コアコンピタンスの強化

- ✓ ChioMe's mAb Discovery Engine (技術ポートフォリオ) の充足のため、技術改良のための共同研究実施中。また、他社技術も取り込み技術力の強化を図る。

### 抗体作製

ADLib®システム

Secreted antibody  
D140  
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

多様な抗体を  
速く多く取得

### 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

- #### 高機能抗体の作製へ
- ・高親和性抗体
  - ・Bispecific/Trispecific抗体
  - ・ADC抗体
  - ・T Cell redirection
- Immuno oncology など





## 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				2017.9~ 

## 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				自社開発中
<b>New</b> Tb-535H	5T4×CD3 ×5T4	がん				2018.12 新規取得
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				導出活動中
BMAA	SEMA3A	糖尿病黄斑 浮腫、他				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 (8件※)	非開示	がん 感染症 希少疾患				—

※ 2018年11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

- ✓ 国内の抗体大手製薬会社を中心にHigh Qualityなタンパク質調製・抗体作製サービス等、抗体作製に係る業務を提供。当社を製薬会社の抗体関連のサテライトラボと位置づけた新規事業開拓を進める。

## 売上拡大への取り組み

- ✓ 従来取引の中心であった中外製薬グループに加え、2018年には新たに小野薬品工業および協和発酵キリンと新たにタンパク質調製・抗体作製サービスに関する取引を開始。来年度末までに、さらに2~3社の製薬会社との新規契約獲得を目指す。

### <主要な取引先>





## 小野薬品工業との「追加委受託契約」の締結

### <契約概要>

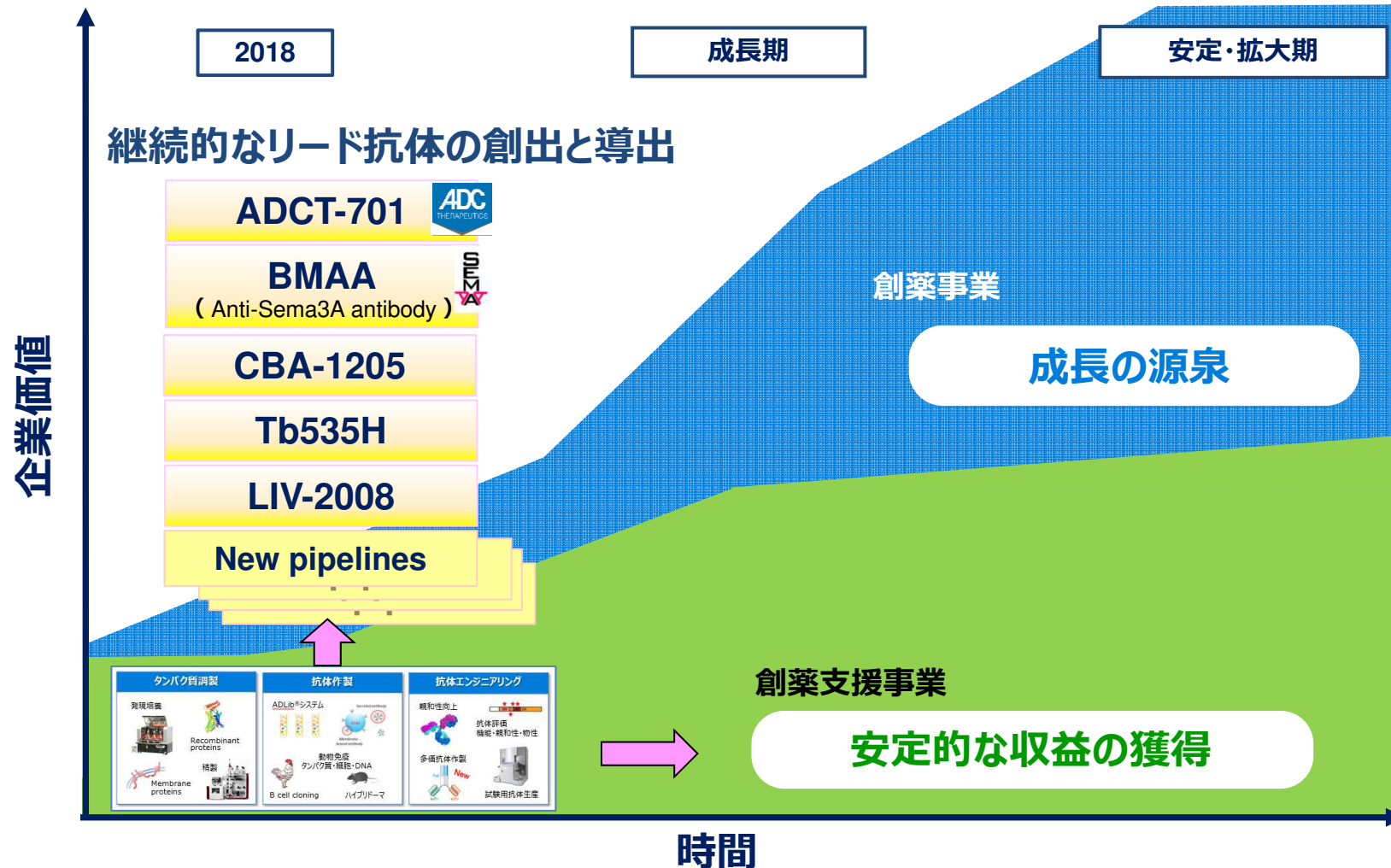
- ✓ 2018年10月1日付、新規抗体作製および抗原・タンパク質調製等（以下、本業務）に関わる追加の業務委受託契約を締結。
- ✓ 2018年5月締結の「委受託基本契約」に基づく業務遂行において当社の研究機能に評価をいただいた結果として、追加委受託契約の締結に至る。
- ✓ 小野薬品のニーズに応える研究リソースを社内に確保し、より安定的かつ迅速に同社の創薬支援を行うことを目的とする。

### **小野薬品工業株式会社とは**

大阪府大阪市に本社を置き、医療用医薬品に特化した研究開発型の製薬企業。「化合物オリエント」と呼ばれる独創的な創薬手法に加え、バイオ医薬品などの革新的新薬の創製に取り組む。2014年9月がん治療薬オプジーボ（免疫チェックポイント阻害剤）を販売開始以降、その適応を拡大している。



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」





事業上の下記の課題を克服し、成果を創出してまいります。

【創薬事業】パイプラインの導出契約、初期臨床開発による  
高付加価値化、新規パイプラインの獲得

【創薬支援事業】国内大手製薬会社と新たな抗体研究支援契約獲得  
(価格競争を避け、限定された顧客に高品質のサービスを提供)

当社の企業価値を高めるため、抗体作製に関する技術力をベースに複数のパイプラインを保有し、医薬品開発中止等の経営リスクを分散すると同時に継続的な将来の成長を目指します。

カイオムはアンメットニーズに対する創薬や抗体医薬の開発候補品を生み出すNo.1ベンチャー企業に向かって着実な成果に向かって邁進します。

# 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



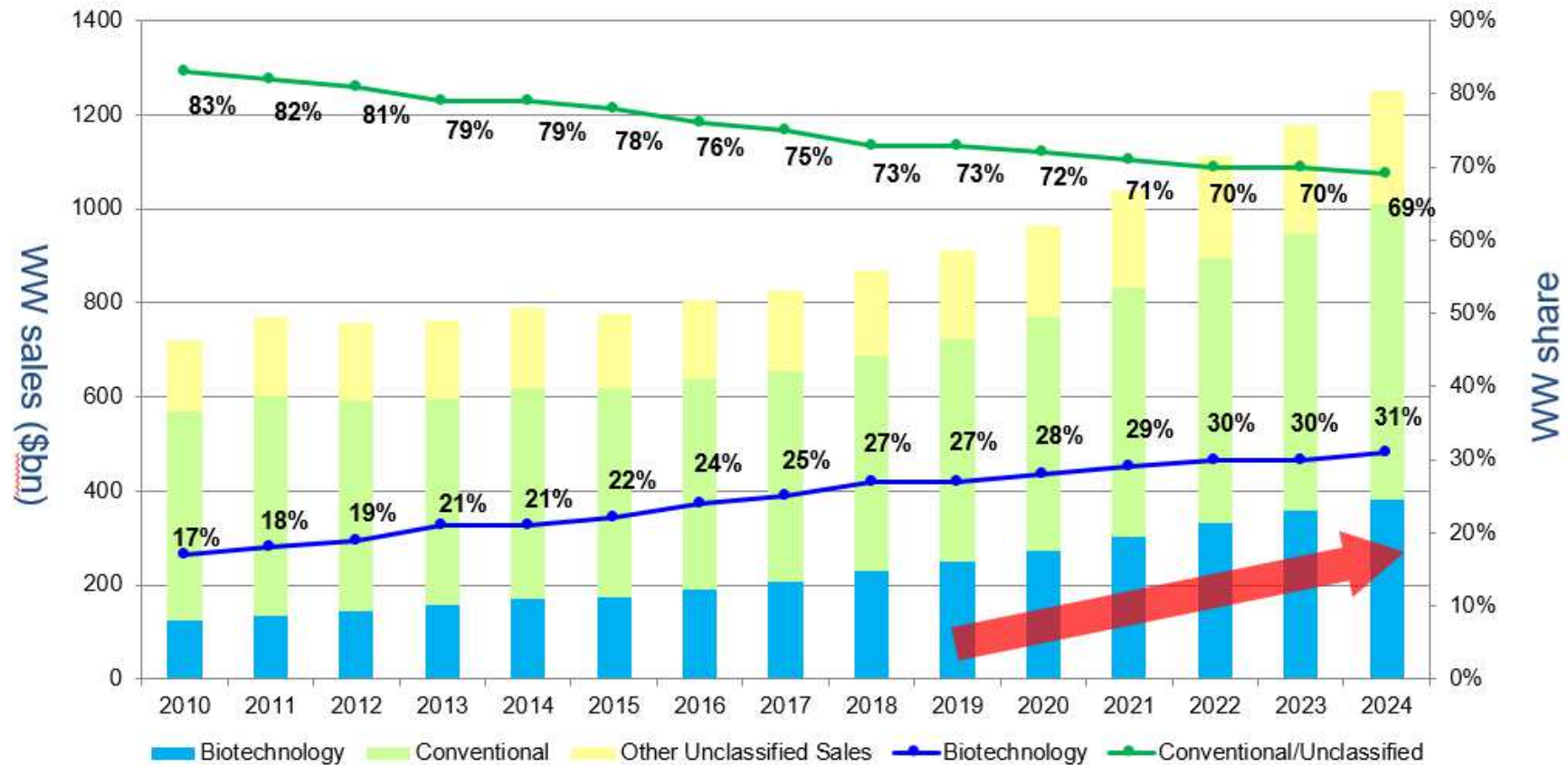


# APPENDIX 1



## バイオ医薬品市場の拡大が続く

(2010-2024)



出典 : Evaluate World Preview 2018, Outlook to 2024

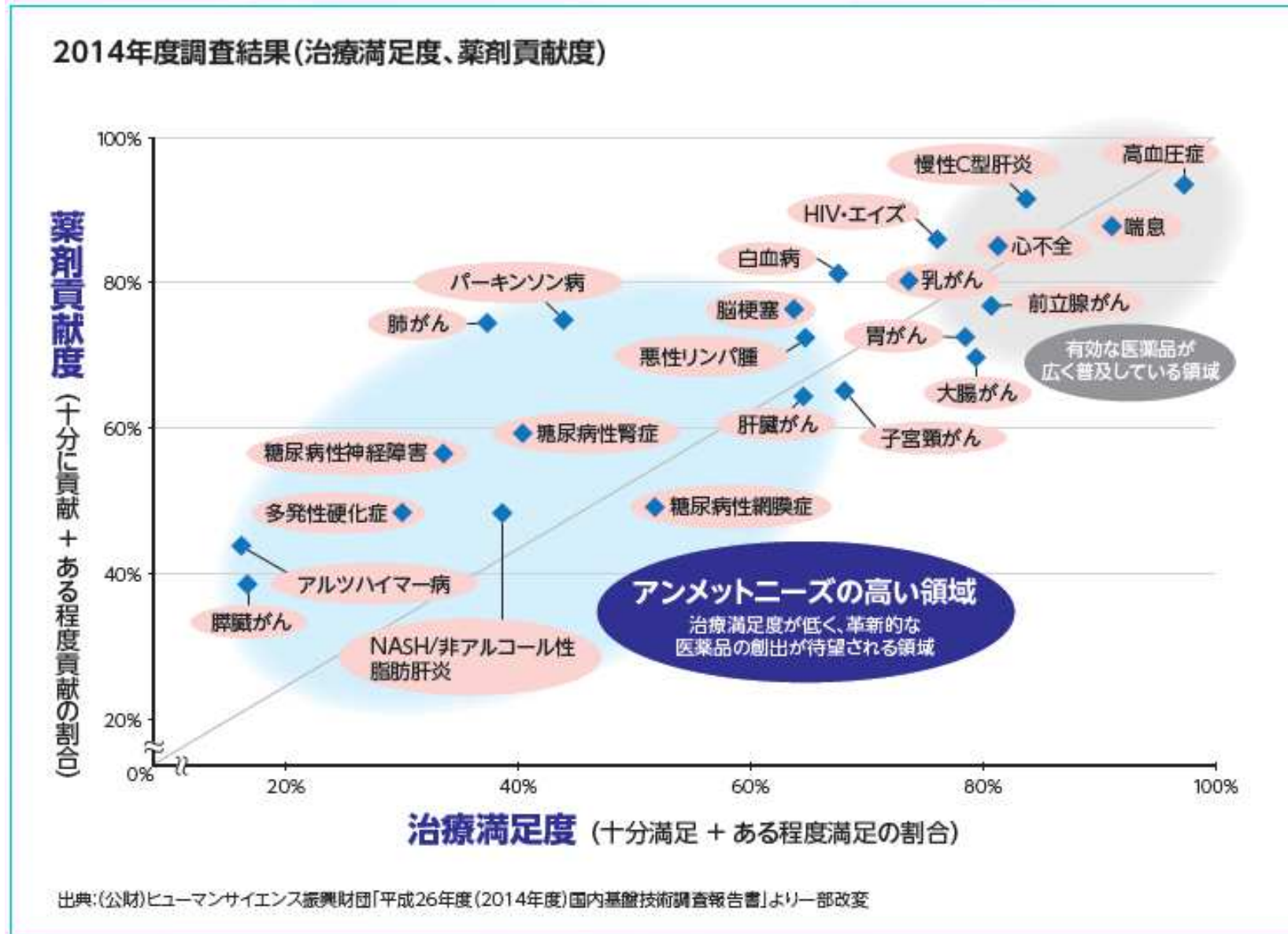
# 医療用医薬品資料の売上ランキング（2017年）



## 売上高上位10位に5つの抗体医薬品製剤

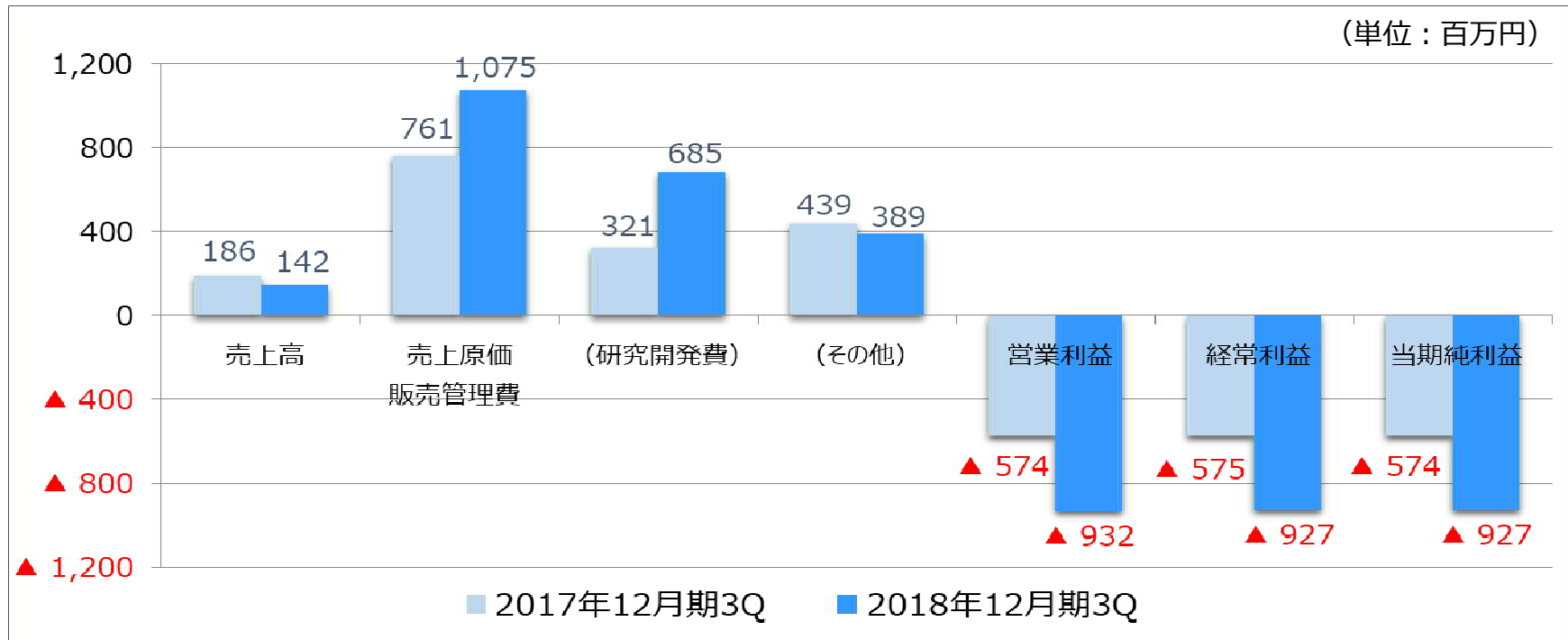
NO	製品名	会社名	適応症	売上高 2017 (百万ドル)
1	ヒュミラ	アッヴィ/エーザイ	関節リウマチ/乾癬他	18,917
2	リツキサン	ロシュ/バイオジェン	非ホジキンリンパ腫他	8,903
3	エンブレル	アムジェン/ファイザー/武田	関節リウマチ/乾癬他	8,230
4	レブリミド/レブラミド	セルジーン	多発性骨髄腫	8,187
5	レミケード	J&J/メルク/田辺三菱	関節リウマチ/クローン病他	7,728
6	エリキュース	BMS/ファイザー	抗凝固剤/Xa因子阻害	7,395
7	ハーセプチン	ロシュ	HER2乳がん	7,123
8	アイリーア	リジェネロン/バイエル/参天	加齢黄斑変性	7,086
9	アバスチン	ロシュ	抗がん剤/結腸がん他	6,792
10	イグザレルト/ザレルト	バイエル/J&J	抗凝固剤/Xa因子阻害	6,224

出典：研ファーマ・ブレーンより一部改変





# APPENDIX 2



## 【売上高】

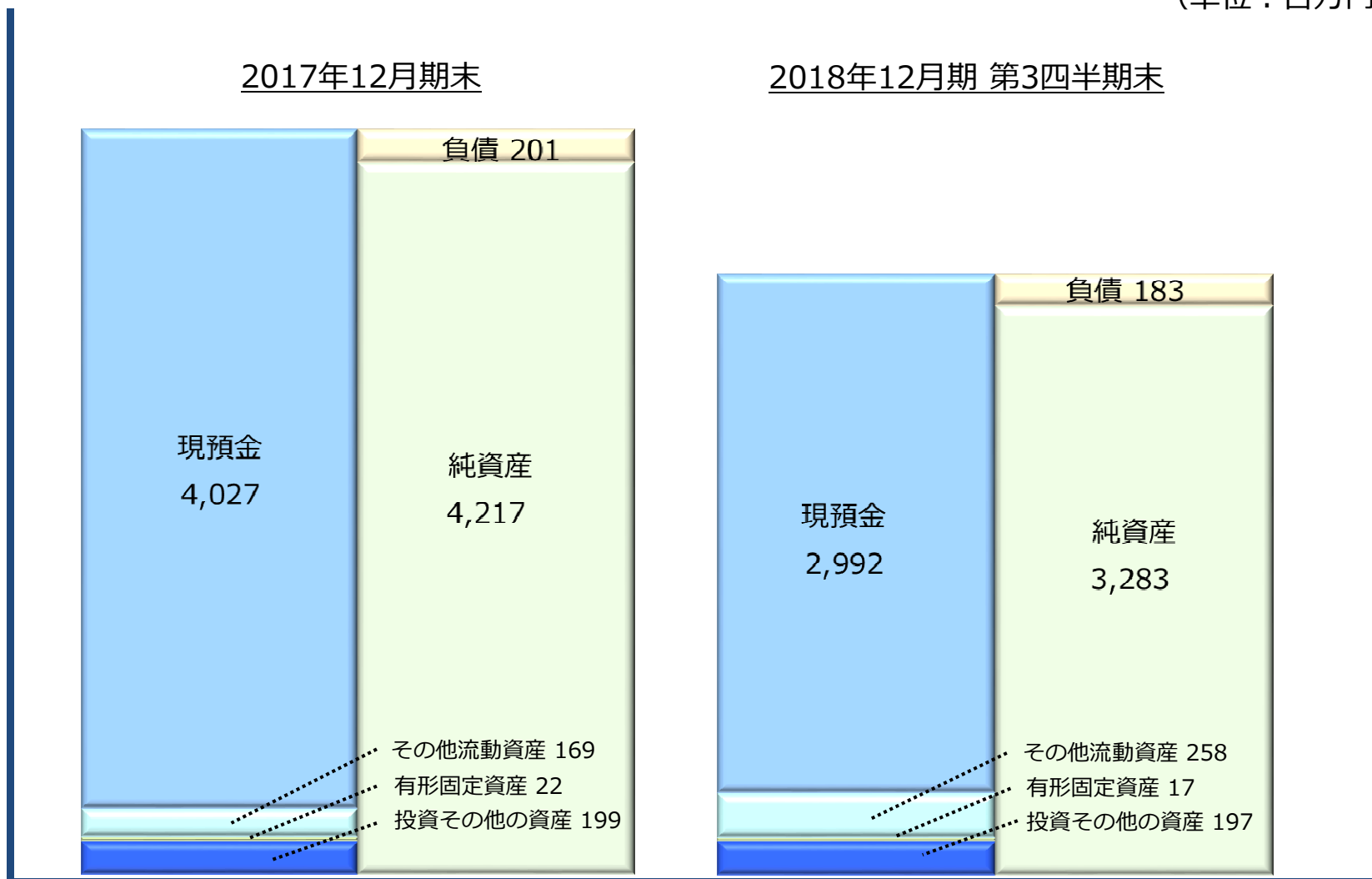
- ・ 創薬事業：BMAA（抗セマフォリン3A抗体）に関するSemaThera社との共同開発ライセンスおよび独占的オプション契約締結に伴うオプション料計上
- ・ 創薬支援事業：抗体作製委託研究およびタンパク質調製に関する受託収入計上

## 【研究開発費】

- ・ 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の計上
- ・ 当期はCBA-1205の臨床開発に向けた原薬および製剤開発委託費用が増加



(単位：百万円)





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。ヒトを対象とする臨床試験の前に動物を用いて医薬品候補化合物の有効性や安全性を評価する試験を前臨床試験または非臨床試験という。
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。
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。
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。





- 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。