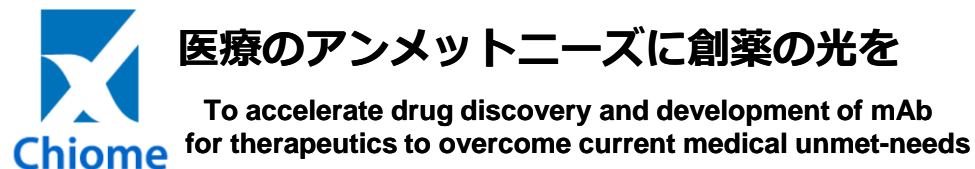




証券コード：4583

2019年12月期第3四半期 決算補足資料

2019年11月12日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



1. 2019年12月期第3四半期業績

2. 2019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



2019年12月期第3四半期業績

損益計算書



	2018年12月期 3Q	2019年12月期 3Q	増減	増減の理由等
売上高	142	282	139	
(創薬事業)	2	2	0	・ BMAA評価期間2年目オプション料計上
(創薬支援事業)	140	280	139	・ 中外製薬グループ、小野薬品からの受託取引が増加
売上原価・販管費	1,075	1,451	376	
(研究開発費)	685	1,043	357	・ CBA-1205の臨床試験に向けた治験薬等開発委託費用およびCRO費用の計上
(その他)	389	408	18	
営業損失 (△)	△932	△1,169	△236	<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 前年同期比99%増</p> <p>[研究開発費] 治験薬等開発委託費用の増加</p>
経常損失 (△)	△927	△1,177	△249	
当期純損失 (△)	△927	△1,170	△242	

※ 百万円未満は切り捨ててして表示しています。



	2018年12月期	2019年12月期 3Q
流動資産	2,609	2,806
（現預金）	2,328	2,468
固定資産	221	241
資産合計	2,831	3,048
流動負債	113	154
固定負債	41	41
負債合計	154	195
純資産合計	2,676	2,853
負債・純資産合計	2,831	3,048

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。



2019年12月期第3四半期事業進捗



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・抗体エンジニアリング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				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				自社開発中
CBA-1535 (Tribody™)	5T4×CD3 ×5T4	がん				自社開発中
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 (5件)	非開示	がん 感染症 中枢神経				—



CBA-1205

ヒト化抗DLK-1
モノクローナル抗体

- ✓ 2020年以降、臨床試験第1相試験開始予定
- CMC開発が順調に進捗（原薬製造完了、治験薬製造予定）
- 臨床試験計画策定のためKOL面談を実施
- 治験申請に必要な毒性試験等非臨床試験は2019年末頃完了予定

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
- CMC開発（原薬・治験薬製造）を委託するCMOの選定完了
- 2021年後半以降の治験申請を見込む

LIV-2008

ヒト化抗TROP-2
モノクローナル抗体

- ✓ ライセンス活動に集中
- 複数の海外製薬企業において導入評価試験等を実施中

BMAA

ヒト化抗セマフォリン3A
モノクローナル抗体

- ✓ SemaThera社による評価継続中
- 2018年3月締結の共同開発ライセンスおよび独占的オプション契約に基づく評価が継続

その他創薬PJ

- 先行するプロジェクトの特許出願にむけたデータ整備中

ADCT-701

(導出品)

- 治験申請のための非臨床試験の最終段階が進行中
- 現在の見通しでは、2020年以降の治験申請を見込む



製薬企業との取引

- ✓ 既存顧客の取引が期初の想定を上回るペースで拡大へ（第3四半期実績は**前年対比99%増**）
 - ・ 中外製薬グループおよび小野薬品との取引を中心に取引高の拡大
 - ・ 2019年7月協和キリン株式会社と委受託基本契約締結、取引は増加へ
- ✓ 新たな取引先との個別契約における新規取引を開始（10月）

【2019年12月期業績予想の修正（創薬支援事業売上高）】

修正前：320百万円 **修正後：400百万円（25%増）**

＜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



- ✓ 抗体作製・抗体エンジニアリング・タンパク調製等の継続的な技術改良により技術プラットフォームを強化。創薬力向上と創薬支援事業でのさらなる活用を目指す。

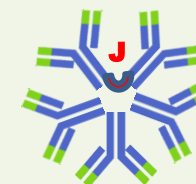
→2019年9月14th Protein Expression in Animal Cells (14th PEACe)

Conference^{*1}でタンパク技術研究 (IgM^{*2}精製方法) に関するポスター発表を実施

2019年9月 PEACe学会ポスター発表概要

タイトル：

A Two-step Purification Strategy to Prepare High Purity Recombinant Chicken IgM Pentamer



発表要旨：

生体内では5量体として存在するIgMは、リコンビナントタンパク質として生産すると5量体のみならず6量体や単体なども発現する。本研究では、高純度に5量体IgMを精製する方法として2段階で行う精製方法が有効であることを示した。

(https://www.conferium.com/downloads/Program_PEACe.pdf)

*1 2年に1度開催されるタンパク質工学系専門の国際学会。2019年は米国ニューポートで開催。タンパク質の発現や精製の研究、分析法の開発、また抗体医薬品の生産に使われるCHO細胞研究などに焦点を当てる。

*2 生体に存在する抗体の一種で、ウイルスや細菌の感染初期の攻撃に重要な役割を担う。IgMは、生体内で5種類のサブユニットが結合しあった5量体として存在し、IgGに比べて抗原結合部位が多いことなどから、診断薬や治療薬などの候補として有用性が高いと考えられる。しかしながらIgMの精製方法はいまだ確立されていない。(なお、6量体IgMは抗原結合部位がさらに多いため自己の細胞に対して傷害を誘導してしまう可能性がある。)



行使価額修正条項付き第14回新株予約権（第三者割当て）の行使完了

- 2019年1月8日に当社が発行した第14回新株予約権の行使が2019年8月27日に完了し、本調達によって1,336百万円を調達。
- 調達した資金により、2021年後半以降の治験申請を目標とするCBA-1535の初期臨床試験のための製剤開発等を推進する。

累計行使個数	6,428個（行使率 100%）
資金調達額	1,336百万円

＜第14回新株予約権発行の目的＞

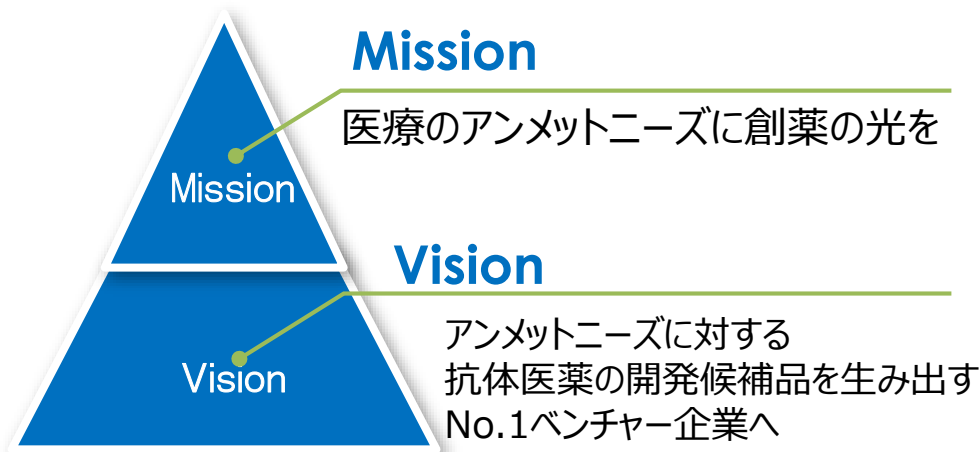
具体的な資金使途	金額	支出予定時期
① がん治療用抗体（CBA-1535）の初期臨床試験並びに原薬および製剤開発の研究開発資金	1,200百万円	2019年4月 ～2021年12月
② 新規治療用抗体創製に向けた基礎研究開発資金	282百万円	2019年1月 ～2020年12月



(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	53名 (研究員39名 うちPhD19名)
■事業内容	抗体医薬品の研究開発等 (2019年9月30日現在)

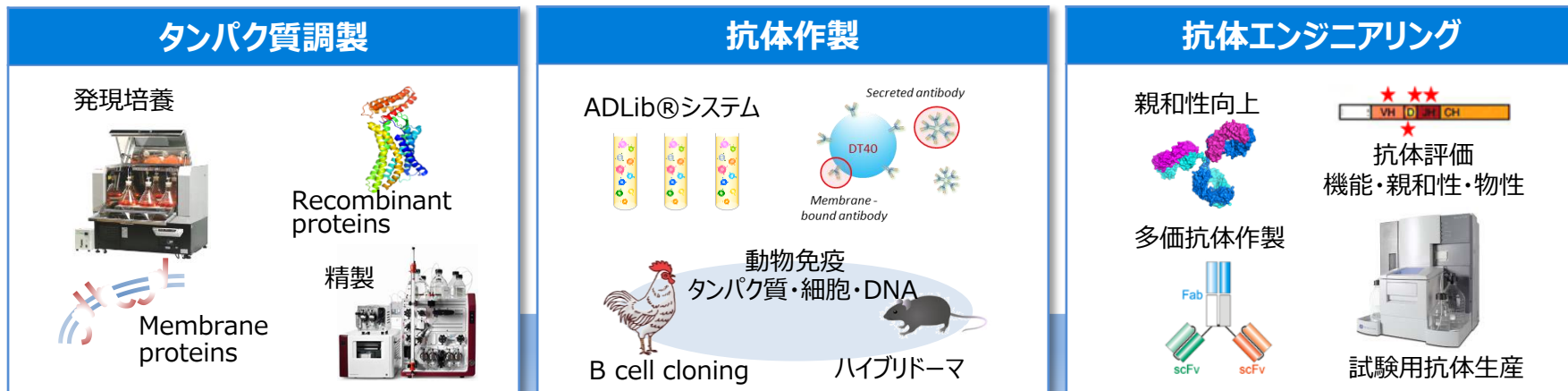


< アンメット (メディカル) ニーズ >

現状の医療では満たされていないニーズ、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)



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

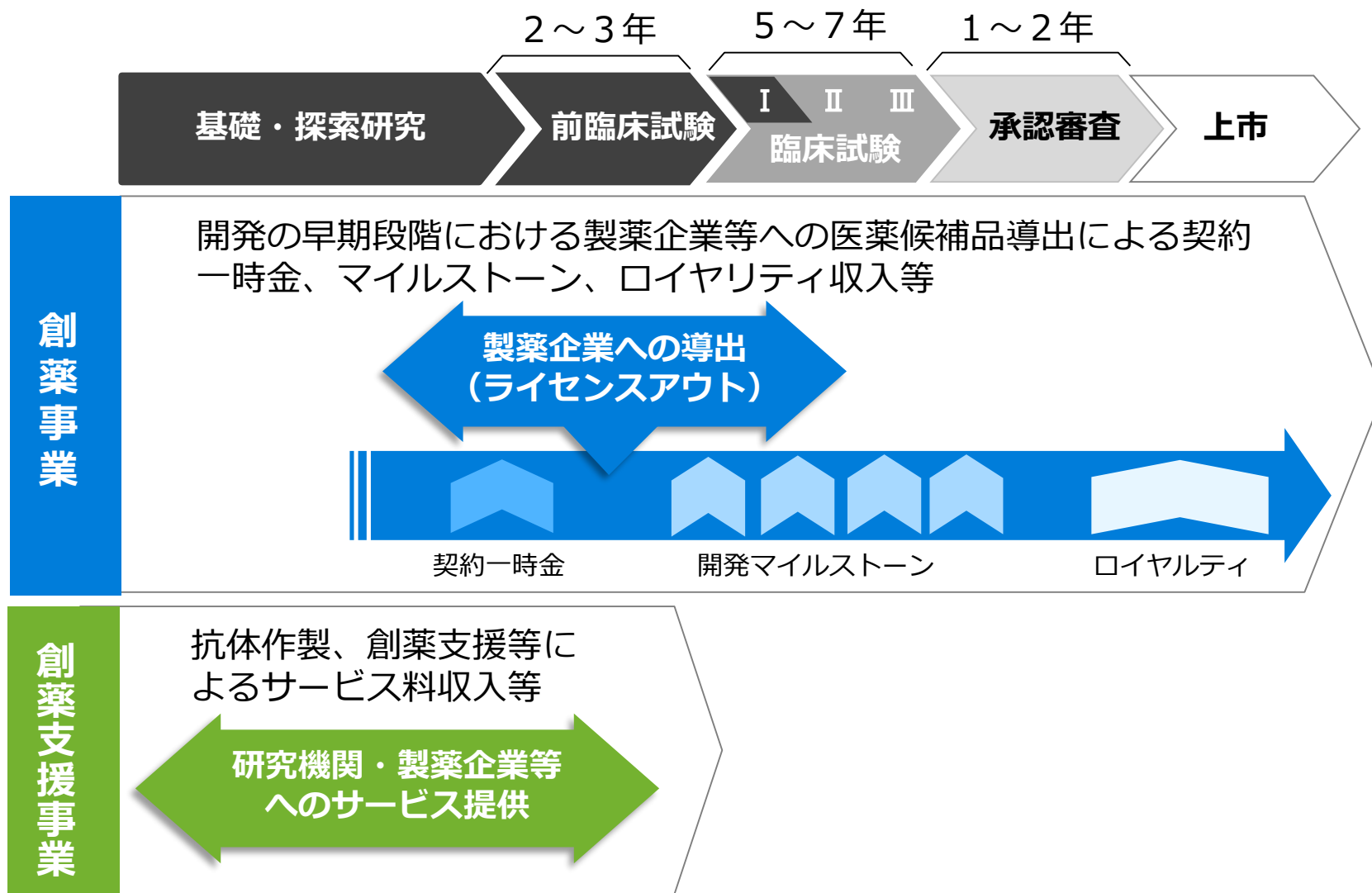
アンメットニーズの高い領域における抗体創薬を行い導出するビジネス

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

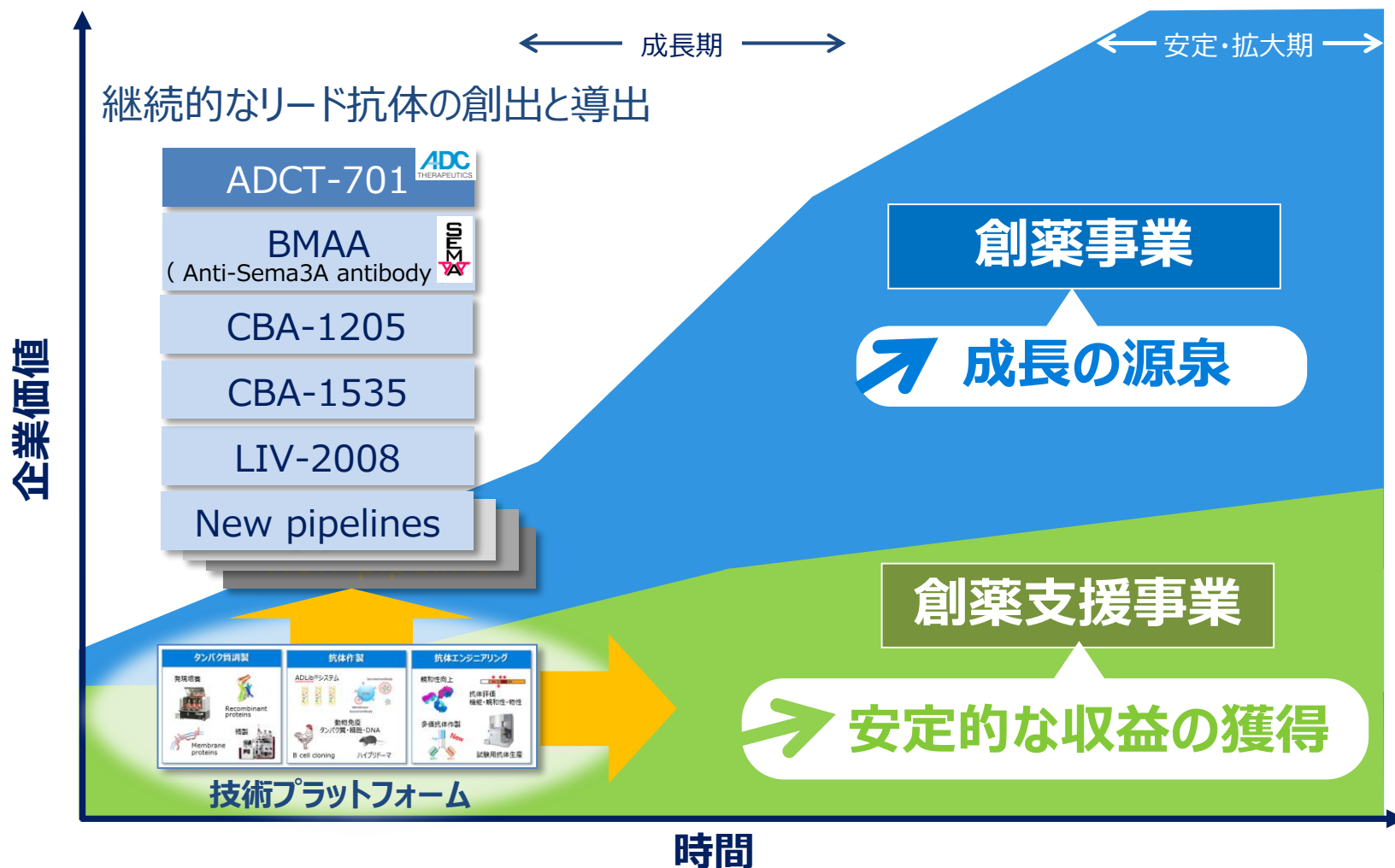


一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル





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」





(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

- ✓ ADC Therapeutics社に導出(2017年9月)*、臨床開発に向けた非臨床試験の最終段階が順調に進捗し、2020年以降に治験届の提出が見込まれる。

*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。

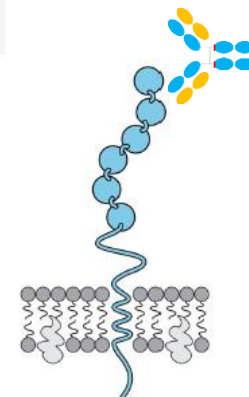
（ポスター資料：https://adctherapeutics.com/adctsite/wp-content/uploads/Poster_701_AACR-2018.pdf）



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

ファーストインクラス

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。



- ✓ 臨床開発に向けた治験薬製造のための原薬製造が完了。治験申請に必要な毒性試験等の非臨床開発は2019年末頃に完了する計画。2020年以降、治験届を行い臨床試験開始予定。

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。

2019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：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>)

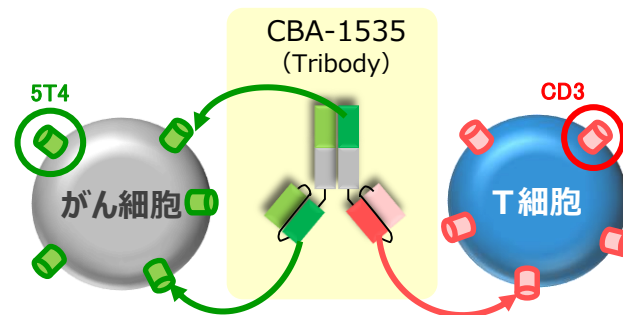


CBA-1535 (ヒト化抗5T4・抗CD3二重特異性抗体) 標的分子：5T4×CD3×5T4

ファーストインクラス

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。（T Cell engager抗体）
- ✓ 2021年後半以降の治験申請に向けてCMC開発に着手。



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。現在、複数社で評価中。

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。

2019年4月米国がん学会（AACR）の年次集会での共同研究成果のポスター発表

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

発表者：東京慈恵会医科大学

（ポスター資料：<https://www.abstractsonline.com/pp8/#!/6812/presentation/2477>）



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）
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、ルセンチス）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。



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

糖尿病網膜症・糖尿病黄斑浮腫（DME）とは

- 糖尿病網膜症は糖尿病の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。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）
- **BMAAは糖尿病黄斑浮腫（DME）に対して唯一使われている抗血管新生薬（抗VEGF薬）よりも早い段階でDMEの発症を抑える薬剤としての開発が期待できる。**

<黄斑浮腫の症状と見え方>

<正常>



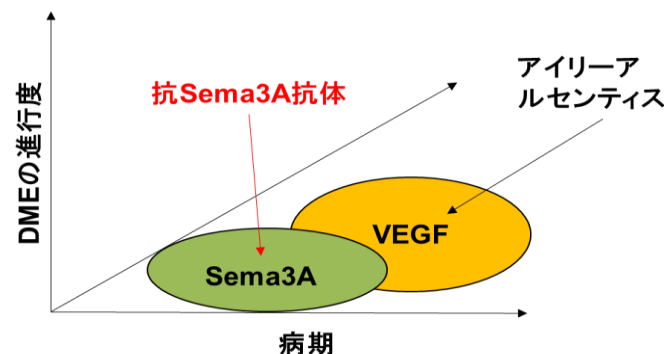
<ゆがみ>



<中心暗点>



<BMAAの薬剤としての期待>



508 Cell Metabolism 18, 505-518, October 1, 2013



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。
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。