



証券コード：4583

2019年12月期 決算補足資料

2020年2月14日



Chiome

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. 2019年12月期 決算概要

2. 2019年12月期 事業進捗

- 事業進捗ハイライト
- 創薬事業
- 創薬支援事業

3. 今後の見通し

(参考) 事業概要



2019年12月期 決算概要

損益計算書



	2018年 12月期	2019年 12月期	増減	増減の理由等
売上高	212	447	234	
(創薬事業)	2	29	27	<ul style="list-style-type: none"> ADCT-701マイルストーン収入計上 BMAA評価期間2年目オプション料計上
(創薬支援事業)	210	417	207	<ul style="list-style-type: none"> 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	1,751	1,849	97	
(研究開発費)	1,230	1,299	68	<ul style="list-style-type: none"> 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)	521	550	28	
営業損失 (△)	△1,539	△1,401	137	
経常損失 (△)	△1,533	△1,410	123	
当期純損失 (△)	△1,533	△1,403	129	

[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

前年対比約2倍の実績

[研究開発費]
 治験薬等開発委託費用の増加

※ 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



	2018年12月期末	2019年12月期末
流動資産	2,609	2,561
(現預金)	2,328	2,105
(その他)	281	456
固定資産	221	247
資産合計	2,831	2,808
流動負債	113	145
固定負債	41	41
負債合計	154	186
純資産合計	2,676	2,621
負債・純資産合計	2,831	2,808

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。

キャッシュフロー計算書



	2018年12月期	2019年12月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,688	△1,537
投資活動によるキャッシュ・フロー	—	△26
財務活動によるキャッシュ・フロー	△10	1,341
現金および現金同等物の増減額	△1,698	△222
現金および現金同等物の期首残高	4,027	2,328
現金および現金同等物の期末残高	2,328	2,105

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。

【キャッシュフローの状況に関する説明】

営業活動によるキャッシュ・フロー：製剤開発等を中心とした研究開発費や販管費等の支出

投資活動によるキャッシュ・フロー：オフィス賃貸借契約更新に伴う敷金・保証金の支出

財務活動によるキャッシュ・フロー：新株予約権行使に伴う株式発行による収入



2019年12月期 事業進捗



創薬事業

～臨床ステージの創薬ベンチャーへ～

- CBA-1205：原薬・治験薬開発およびGLP下での毒性試験が概ね終了
導出戦略に基づく新規特許出願完了
- CBA-1535：CMO選定完了、原薬・治験薬製造準備の開始
- 創薬プロジェクト：がん領域のプロジェクトにおいてリード抗体を選
定し、新規特許出願完了

創薬支援事業

～既存・新規の取引拡大～

- 中外製薬グループ、小野薬品工業との取引を中心に拡大
- 協和キリンとの包括委受託基本契約を締結、継続的な取引へ
- 富士レビオがADLib抗体を使用した診断薬キットを製品化

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	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 (6件)	非開示	がん 感染症 中枢神経				がん領域のプロジェクト1件において新規特許出願完了 —

2019年12月末時点



臨床試験実施に向けた進展

- CBA-1205 : 原薬・治験薬開発とGLP下での毒性試験が概ね終了
➡ 2020年前半に国内での治験申請予定
: 導出戦略に基づく新規特許出願完了
➡ CBA-1205の治療薬としてのポテンシャル拡大を狙う
- CBA-1535 : 治験薬製造を委託するCMOにスイスのCelonic社を選定、原薬・治験薬開発準備の開始

導出候補品の状況

- LIV-2008 : 複数の海外製薬企業において導入評価試験実施中
- BMAA : カナダのSemaThera社が共同開発ライセンスおよび独占的オプション契約のもと、継続して評価を実施中



創薬研究プロジェクトの状況

- 探索段階のプロジェクトのうち、がん領域のプロジェクトにおいて新規特許出願完了、外部企業等との連携を目指してADC領域でのフィージビリティスタディを進める
- その他のプロジェクト（がん・感染症領域）の研究が進展、2020年度の新規出願に向けたデータ取得を進める

技術プラットフォーム

- ADLib[®]システムを用いた抗体の親和性向上技術の進展、創薬支援事業において本技術を活用した案件を受託
- Tribody技術（多重特異性抗体作製技術）を活用した創薬研究・技術研究を推進



製薬企業との取引

- 売上高は前期比で196%、期初予想（320百万円）を30%上回る417百万円となる。
- 中外製薬グループとの取引が増加しつつ、小野薬品工業との取引が拡大、協和キリンとは包括契約を締結。複数の国内抗体医薬大手との取引が拡大、収益安定化へ。
- 田辺三菱製薬グループとの委受託基本契約は当初の契約期間3年を経過して契約期間延長、以降1年後ごとの自動延長へ

<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



ADLib®システム抗体の診断薬キット製品化

- 富士レビオ株式会社がADLib®システムを使用して開発した特異的抗体を含むアルドステロン診断薬キット『ルミパルスプレスト アルドステロン』の日本での販売を開始 – ビタミンD検査用に次いで2製品目
- 製品化に先立って2019年6月、当社と富士レビオは知的財産に関する契約締結、今後契約に基づき製品の売り上げに応じたロイヤリティを受け取る



今後の見通し



今後の見通し（2020年12月期）

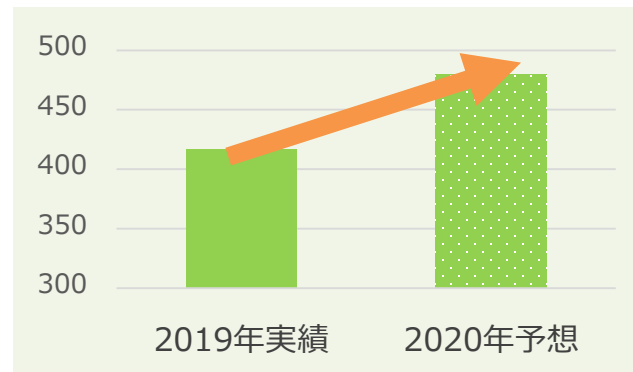
創薬事業

- CBA-1205 : 2020年前半の国内治験申請を予定
- CBA-1535 : 原薬および治験薬製造に着手、2021年後半以降に英国での臨床試験許認可（CTA）申請を目標
- BMAA : SemaThera社によるオプション権行使の可否
- LIV-2008 : 導出候補を絞り込み、契約締結を目指す
- 創薬プロジェクト : ステージアップと新たな特許出願を目指す
- ADCT-701 : IND申請に必要な薬理試験・毒性試験が終了し、ADCT社がIND申請の準備中

創薬支援事業

- 既存顧客との取引の深耕
- 業務キャパシティ拡大に向けた設備投資
- 売上高480百万円の達成

創薬支援事業売上高

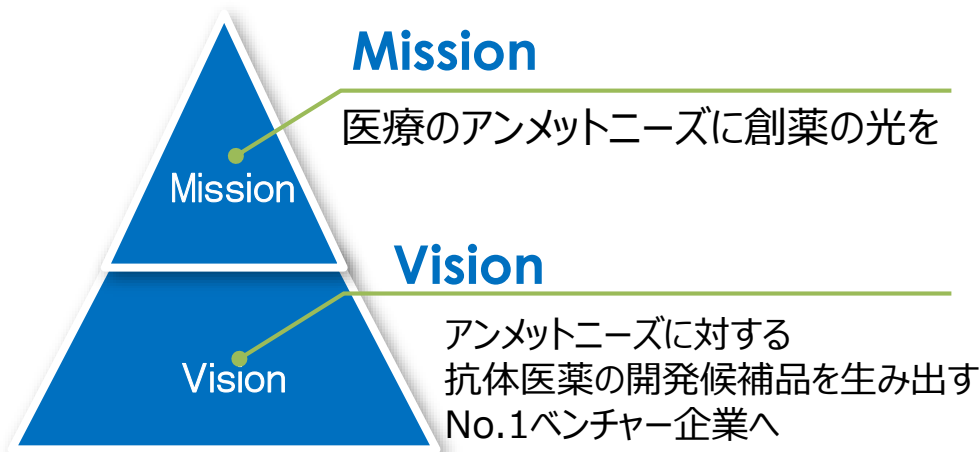




(参考) 事業概要



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12月31日現在)

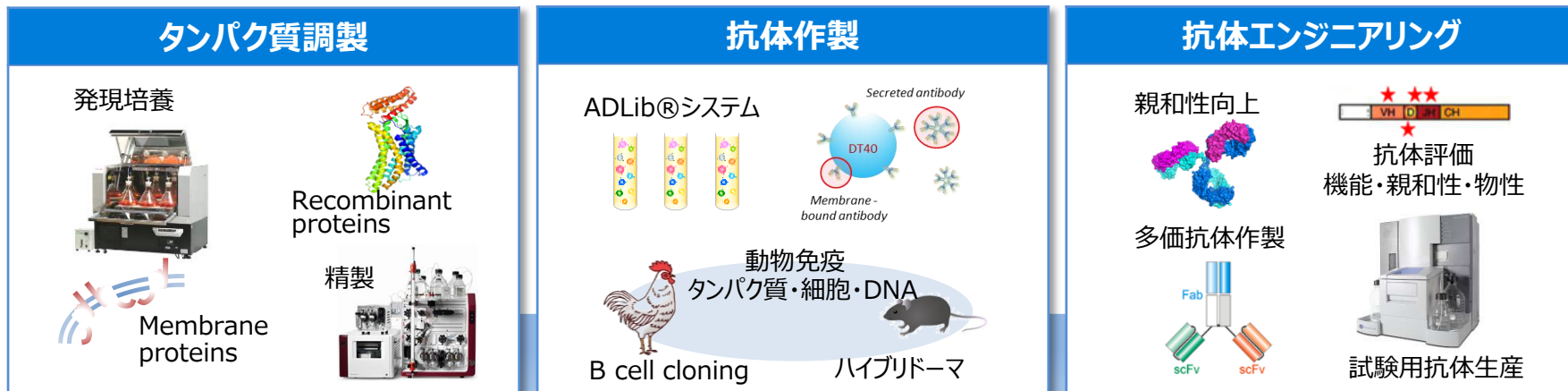


< アンメット (メディカル) ニーズ >

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

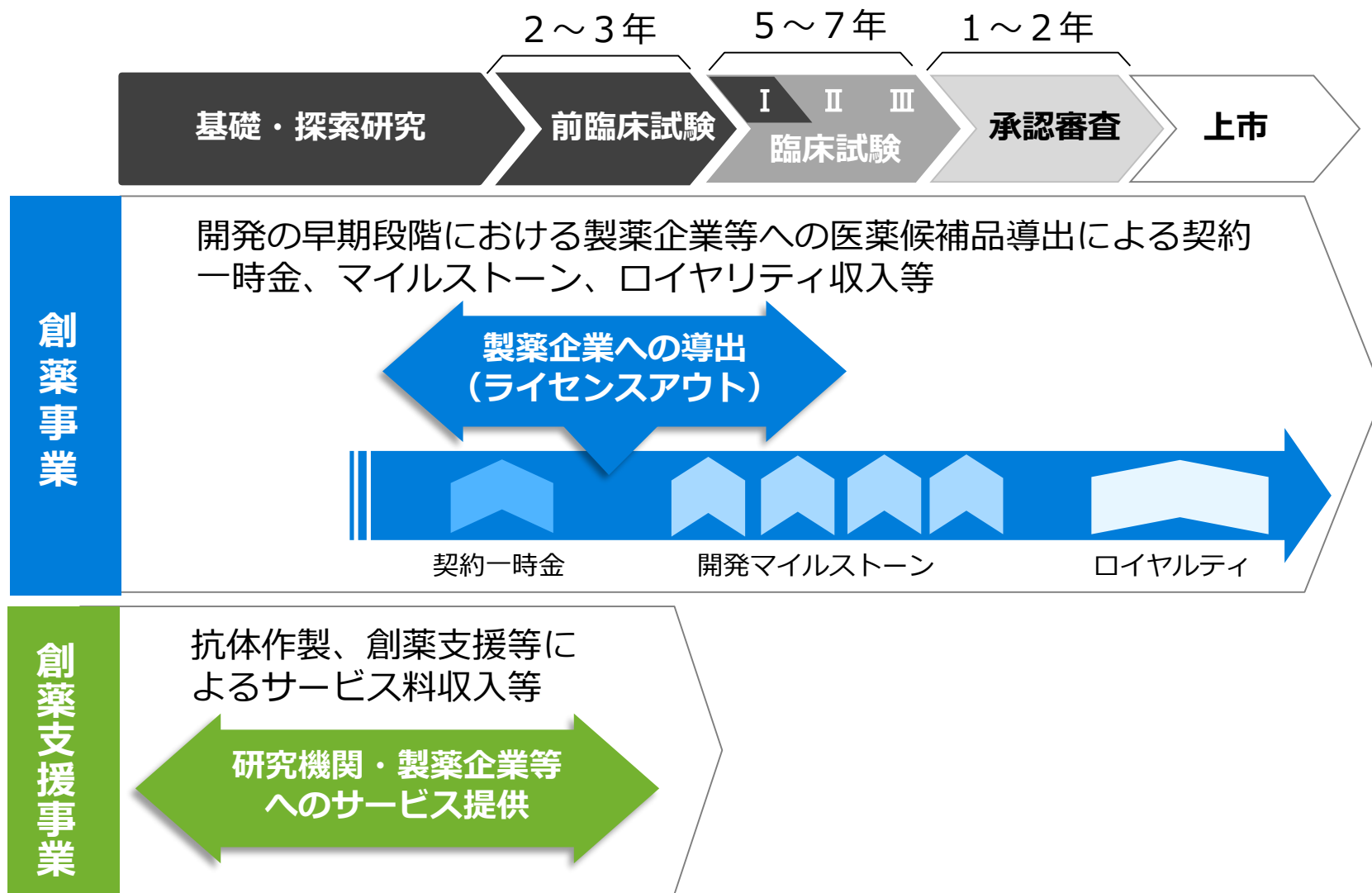
アンメットニーズの高い領域における抗体創薬を行い導出するビジネス

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

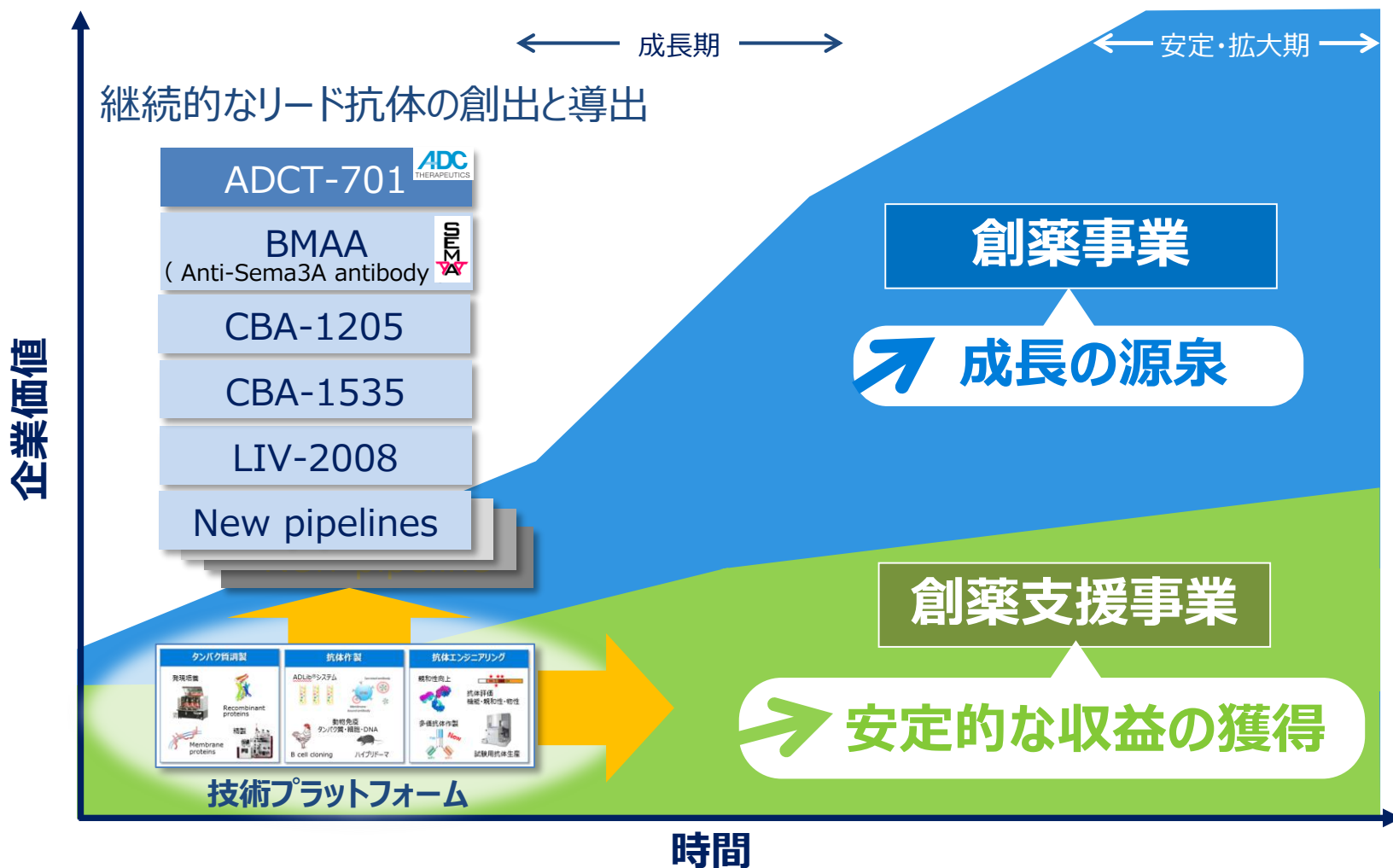


一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル





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)*、2019年11月IND（新薬臨床試験開始届）申請準備に必要な毒性試験が終了したことによるマイルストーンの達成。

*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）

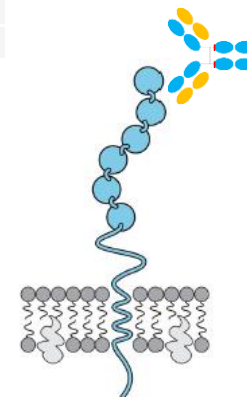


CBA-1205 (ADCC活性増強型 ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体)

標的分子：DLK-1

ファーストインクラス

経緯	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。



- ✓ 臨床開発に向けた原薬製造と治験申請に必要な毒性試験等の非臨床開発が完了。
- ✓ 臨床開発に向けた施設やKOL選定が進む。

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

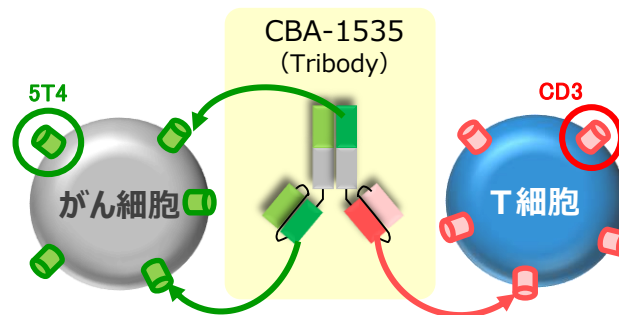
タイトル：CBA-1205, a novel glycoengineered humanized antibody targeting DLK-1 exhibits potent anti-tumor activity in DLK-1 expressing tumor xenograft models

(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

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CD3を標的とする多価抗体。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・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傷害活性を発揮する。（T Cell engager抗体）
- ✓ 治験薬製造を委託するCMOにスイスのCelonic社を選定



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	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。

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。



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。
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捨て@@宇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、少数の治療参加者に投与し、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。
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。
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ため、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。