



証券コード：4583

2020年12月期第1四半期 決算補足資料

2020年5月15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

株式会社カイオム・バイオサイエンス



1. 2020年12月期第1四半期業績

2. 2020年12月期第1四半期事業進捗

(参考)

事業概要

パイプライン紹介



2020年12月期第1四半期業績

損益計算書



	2019年12月期 1Q	2020年12月期 1Q	増減	増減の理由等
売上高	63	90	26	
(創薬事業)	0	0	0	
(創薬支援事業)	63	89	26	・ 国内製薬企業の取引増加
売上原価・販管費	490	517	27	
(研究開発費)	363	342	△20	・ CBA-1205毒性試験費用等の計上
(その他)	127	174	47	・ 技術研究所の拡張・機器の増設による増加
営業損失 (△)	△426	△426	0	[売上高] 国内製薬企業の取引拡大により 創薬支援事業売上前年同期比 42%増加 [研究開発費] CBA-1205臨床試験関連費用の 計上
経常損失 (△)	△432	△424	△7	
当期純損失 (△)	△430	△425	△5	

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。

貸借対照表



	2019年12月期末	2020年12月期1Q末
流動資産	2,561	2,309
(現預金)	2,105	1,967
(その他)	456	342
固定資産	247	246
資産合計	2,808	2,556
流動負債	145	315
固定負債	41	41
負債合計	186	356
純資産合計	2,621	2,199
負債・純資産合計	2,808	2,556

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。



2020年12月期第1四半期事業進捗



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。

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~

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				—

2020年3月末時点

創薬事業 (パイプライン)



CBA-1205 ヒト化抗DLK-1 モノクローナル抗体	<ul style="list-style-type: none">✓ 2020年3月24日 国内で初回治験計画届を提出、30日調査が完了• 導出戦略に基づく新規特許出願完了• 2020年内に臨床第1相試験における初回投与を見込む
CBA-1535 ヒト化抗5T4・抗CD3 二重特異性抗体	<ul style="list-style-type: none">✓ 臨床試験に向け準備中• 治験薬製造委託CMOにおいて治験薬製造の準備が進捗• 2021年後半以降の英国での臨床試験許認可 (CTA) 申請を見込む• 4/22日本における特許付与決定
LIV-2008 ヒト化抗TROP-2 モノクローナル抗体	<ul style="list-style-type: none">✓ ライセンス活動に集中• 複数の海外製薬企業が異なる用途で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	<ul style="list-style-type: none">✓ 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	<ul style="list-style-type: none">• がん領域プロジェクトで2019年末までに新規特許出願を完了• 上記プロジェクトを外部企業とADC領域で評価を実施中
ADCT-701 (導出品)	<ul style="list-style-type: none">• ADCT社によりIND申請に向けた準備が進行中• 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

- 国内製薬企業との取引の拡大により売上高は前期比で42%増加
- ヒトADLib[®]システムを活用した新規の抗体作製による売上を計上

<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

その他の活動

- 新型コロナウイルスに対する抗体作製受託案件を実施中



現時点で当事業年度の業績等への影響はありません。

新型コロナウイルスによる広範な感染症の流行に伴う緊急事態宣言の発令に伴い、当社および顧客企業においても一部業務の変更、遅延、延期などが確認されているものの、現時点においては当事業年度への業績等への影響は確認されておりません。

本状況が長期に渡って継続し、当社、研究機関及び取引先の事業の停止又は施設設備の閉鎖、当社が事業を行う国又は地域における許認可機関等による手続の遅滞等が発生した場合には、当社の業績等に影響が生じる可能性があります。

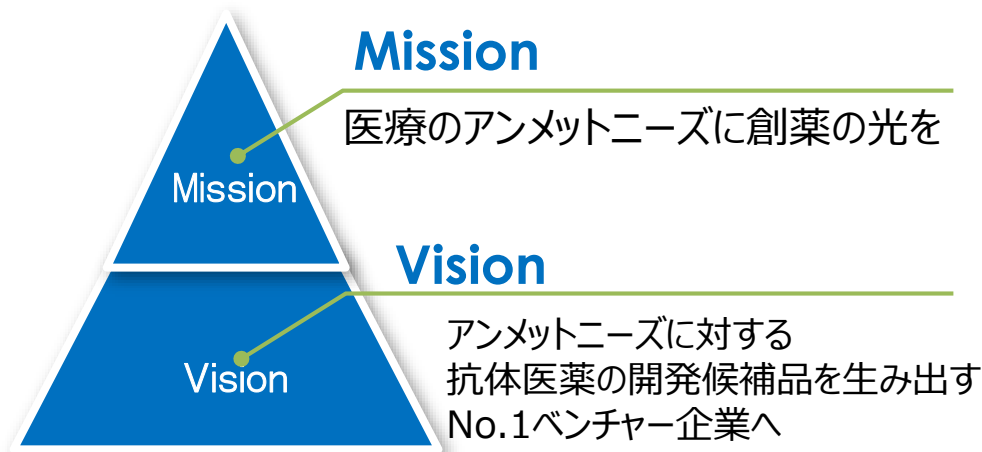
当社では、今後も在宅勤務や時差出勤等の感染予防の対策を講じつつ、抗体創薬、創薬支援の事業への取り組みを継続してまいります。



(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 | 57名
(研究員41名 うちPhD19名) |
| ■事業内容 | 抗体医薬品の研究開発等
(2020年3月31日現在) |

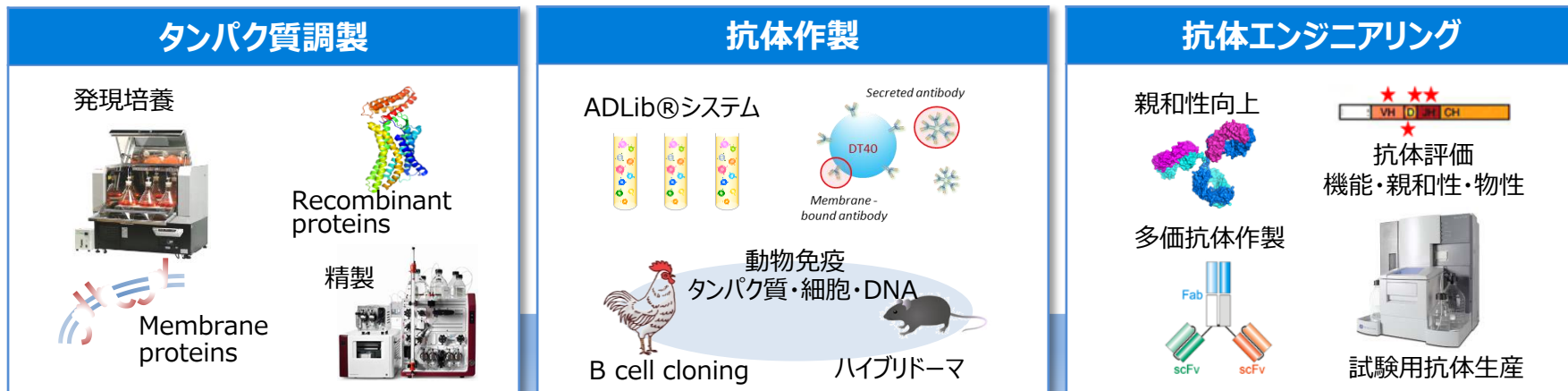


< アンメット (メディカル) ニーズ >

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

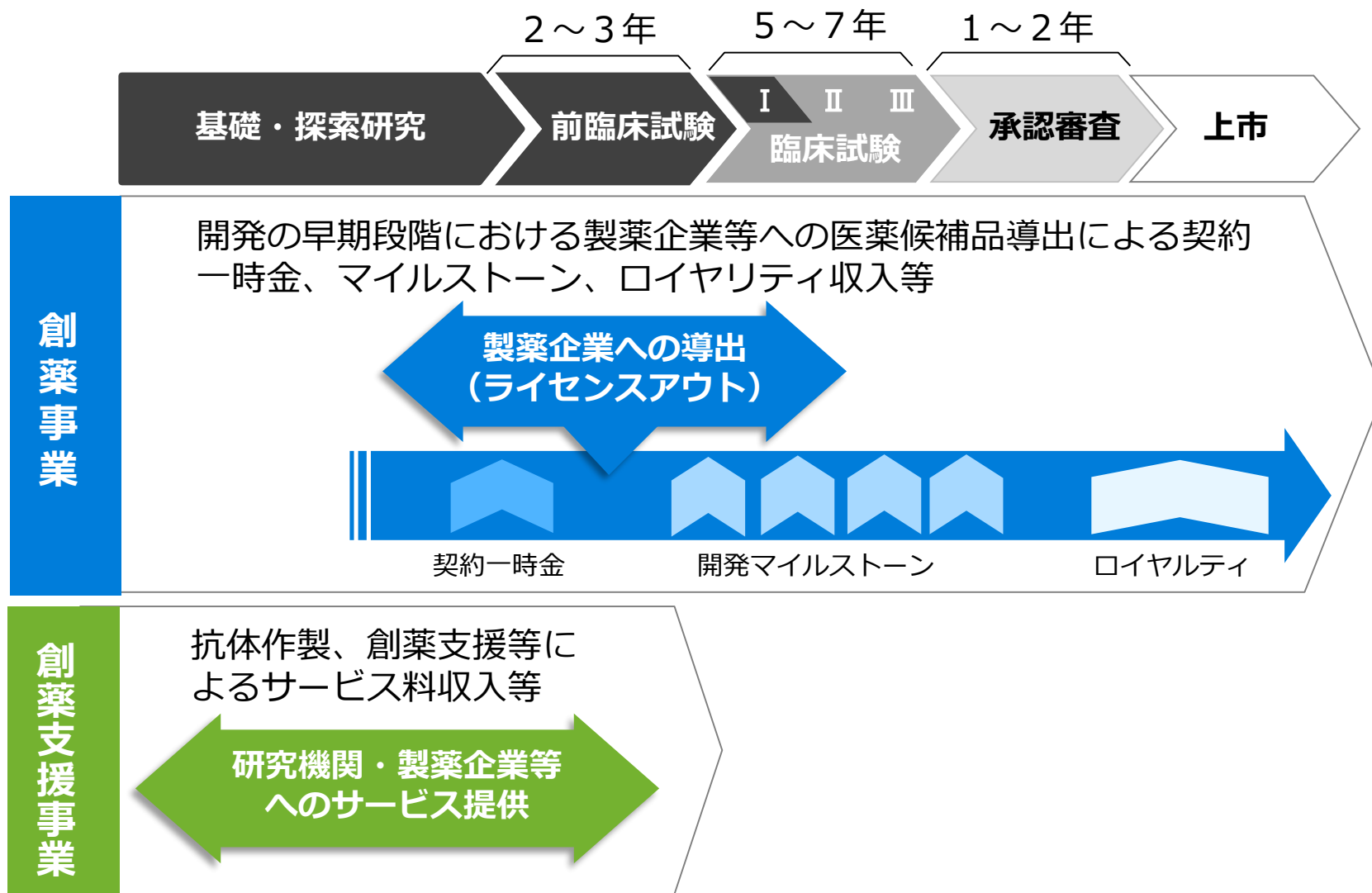
アンメットニーズの高い領域における抗体創薬を行い導出するビジネス

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

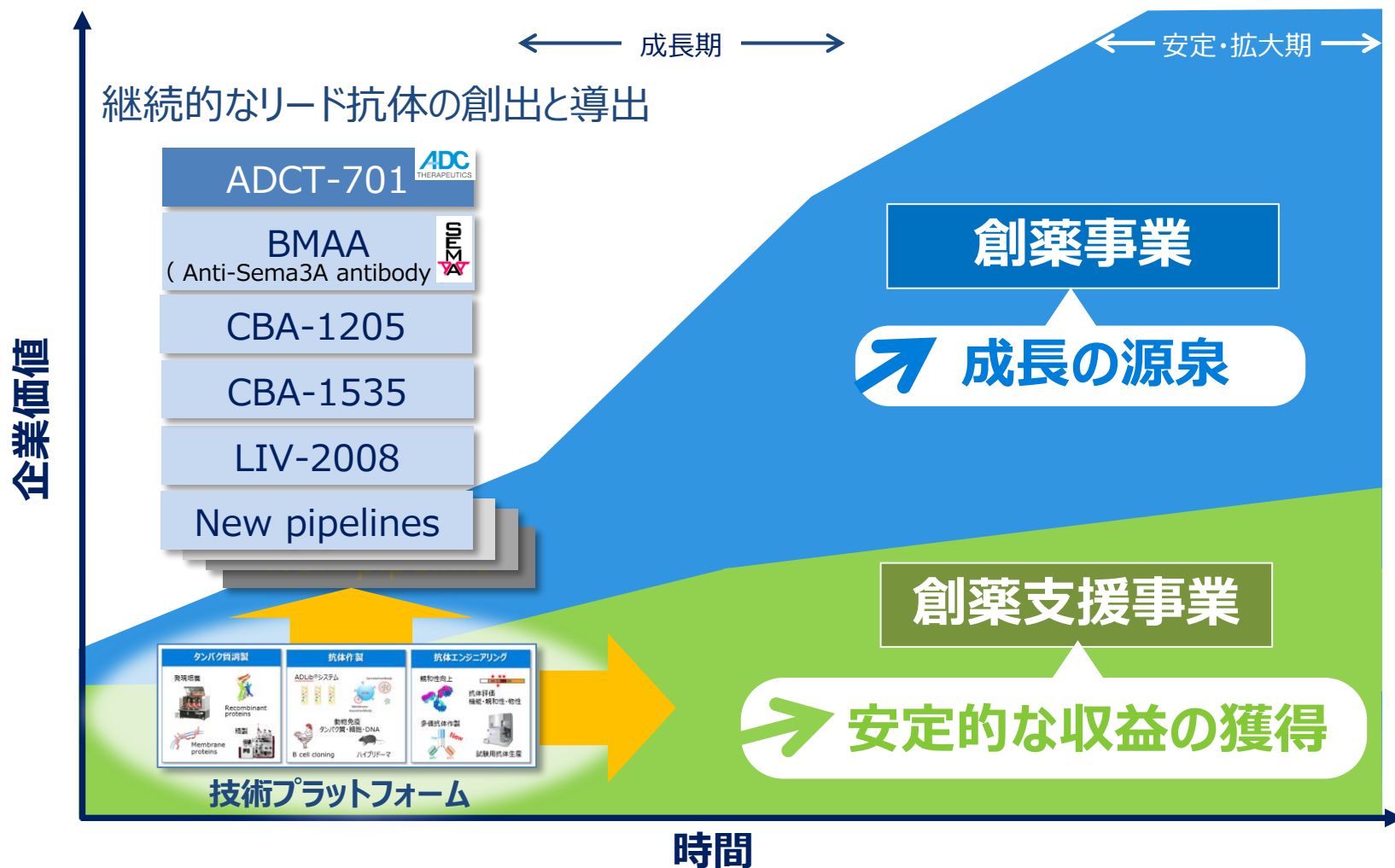


一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル





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新たな治療薬を提供する。

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）

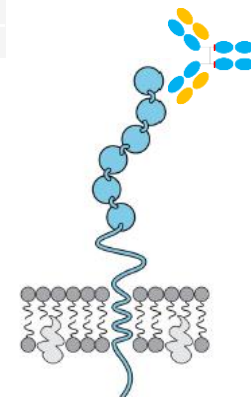


CBA-1205 (ADCC活性増強型 ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体)

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のヒト化抗体
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。



- ✓ 国内での初回治験計画届を提出（2020年3月24日）、照会事項対応完了。
- ✓ 臨床試験開始に向けた施設との契約、治験契約承認作業を進める。

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

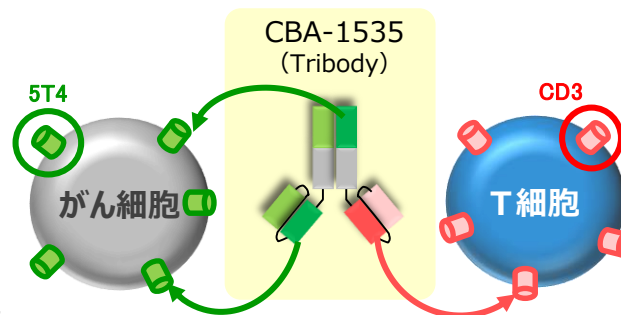
タイトル：CBA-1205, a novel glycoengineered humanized antibody targeting DLK-1 exhibits potent anti-tumor activity in DLK-1 expressing tumor xenograft models

（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CD3を標的とする多重特異性抗体。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	日本で特許成立。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に結合する抗体で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社への技術移管、原薬の試験製造



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のヒト化抗体
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、ルセンテイス）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。
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。