



証券コード：4583

事業計画及び成長可能性に関する事項

2021年11月29日



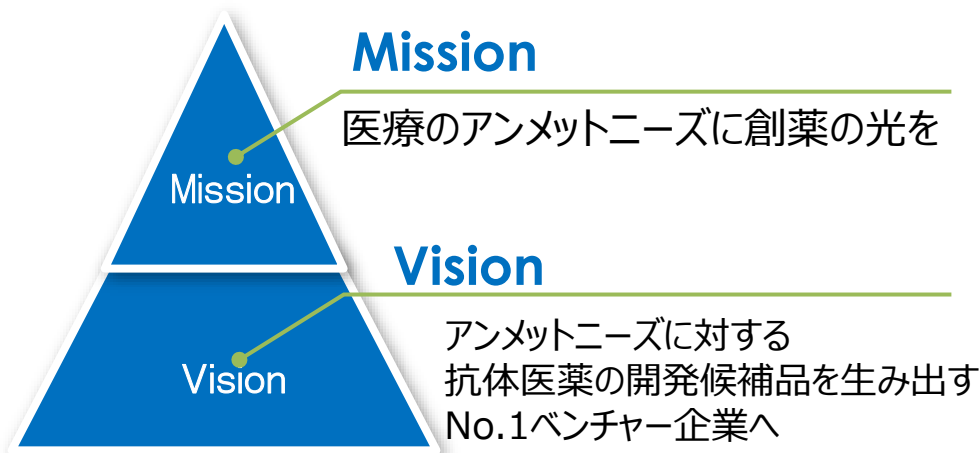
医療のアンメットニーズに創薬の光を

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



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本町 二丁目13番3号
■従業員	57名 (研究員42名 うちPhD20名)
■事業内容	抗体医薬品の研究開発等 (2021年9月30日現在)



< アンメット (メディカル) ニーズ >

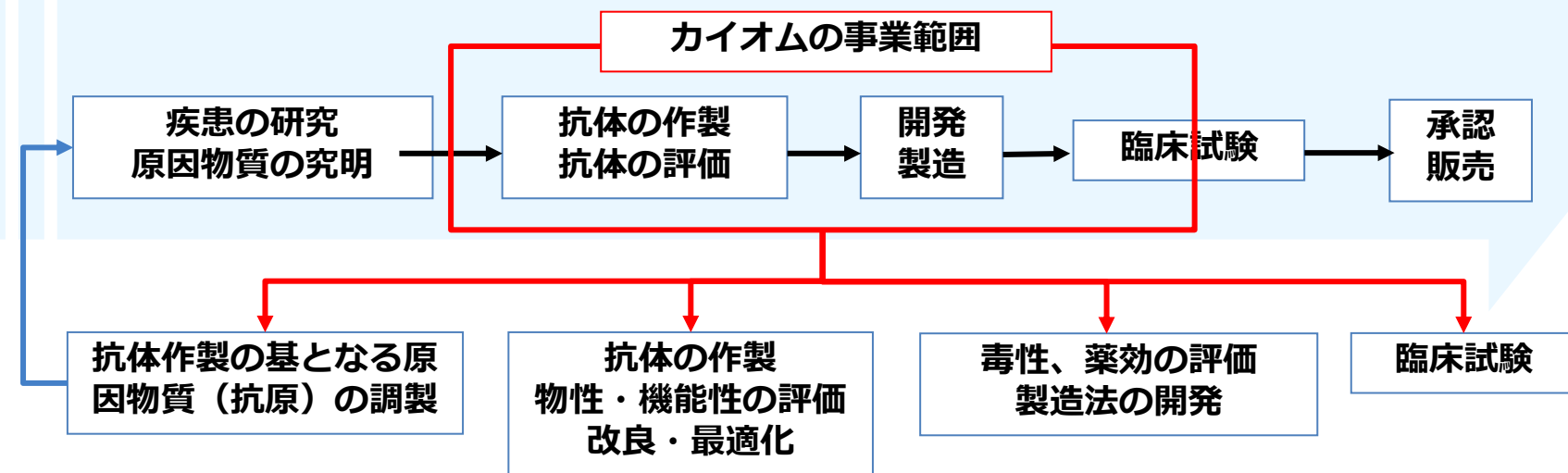
現状の医療では満たされていないニーズ、すなわち、いまだ有効な治療法や薬剤がない疾患に対する医療ニーズのことです。今もなお、アンメットニーズが存在する疾患は数多くあり、新薬の開発が待たれています。



当社が手掛けるアンメットニーズの高い疾患に対する抗体創薬

- 有効な治療法がない難治疾患
- 治療法はあっても有効な薬剤がない疾患
- 有効な薬剤があっても使いにくい、副作用が強い
- 患者さんの数が少なく、大企業が手を出しにくい疾患

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

創薬研究

臨床開発

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



創薬事業

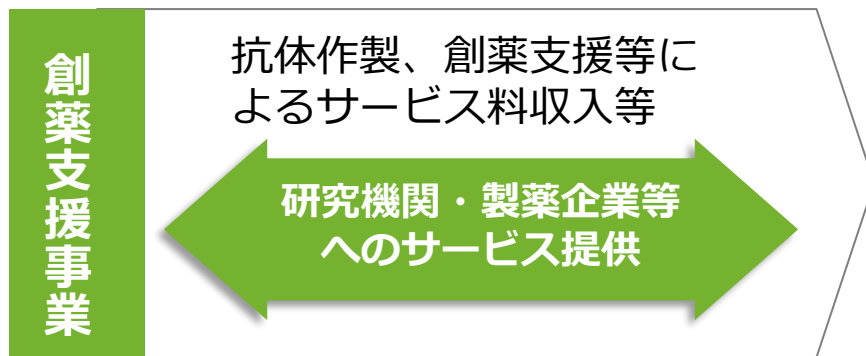
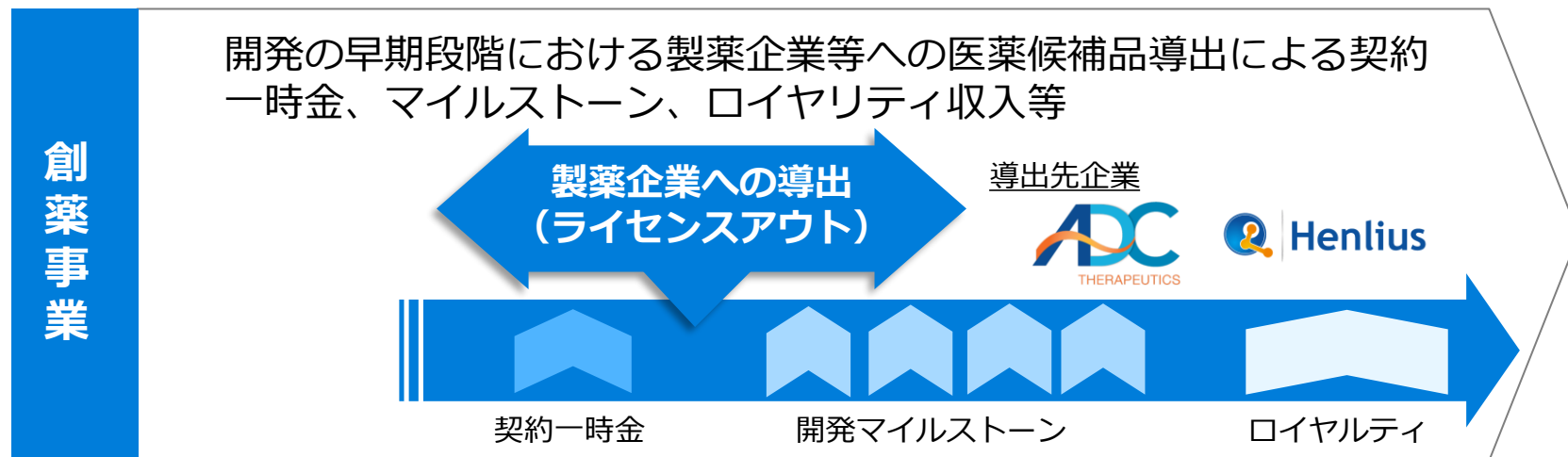
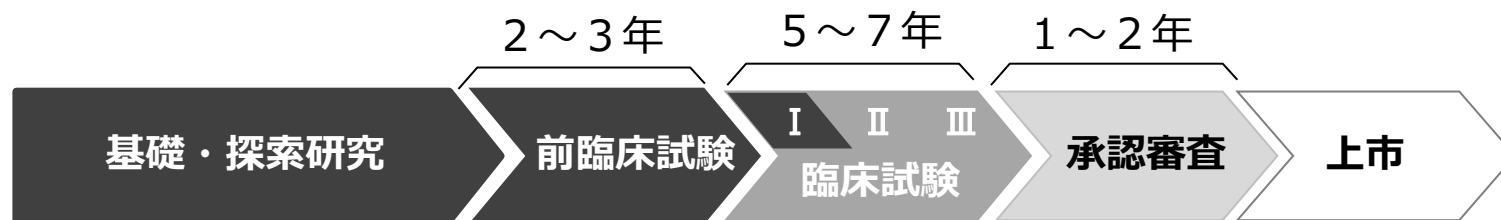
アンメットニーズの高い疾患領域における抗体創薬の自社開発または共同開発を行い、その成果物である抗体に関する特許権等の知財権を製薬企業等へ実施許諾し、契約一時金、マイルストーン、およびロイヤルティ等の収入を獲得していく事業。当社の成長を担う事業。

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。主として国内製薬大手企業に対して、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”。安定的な収益を獲得する事業。



一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル

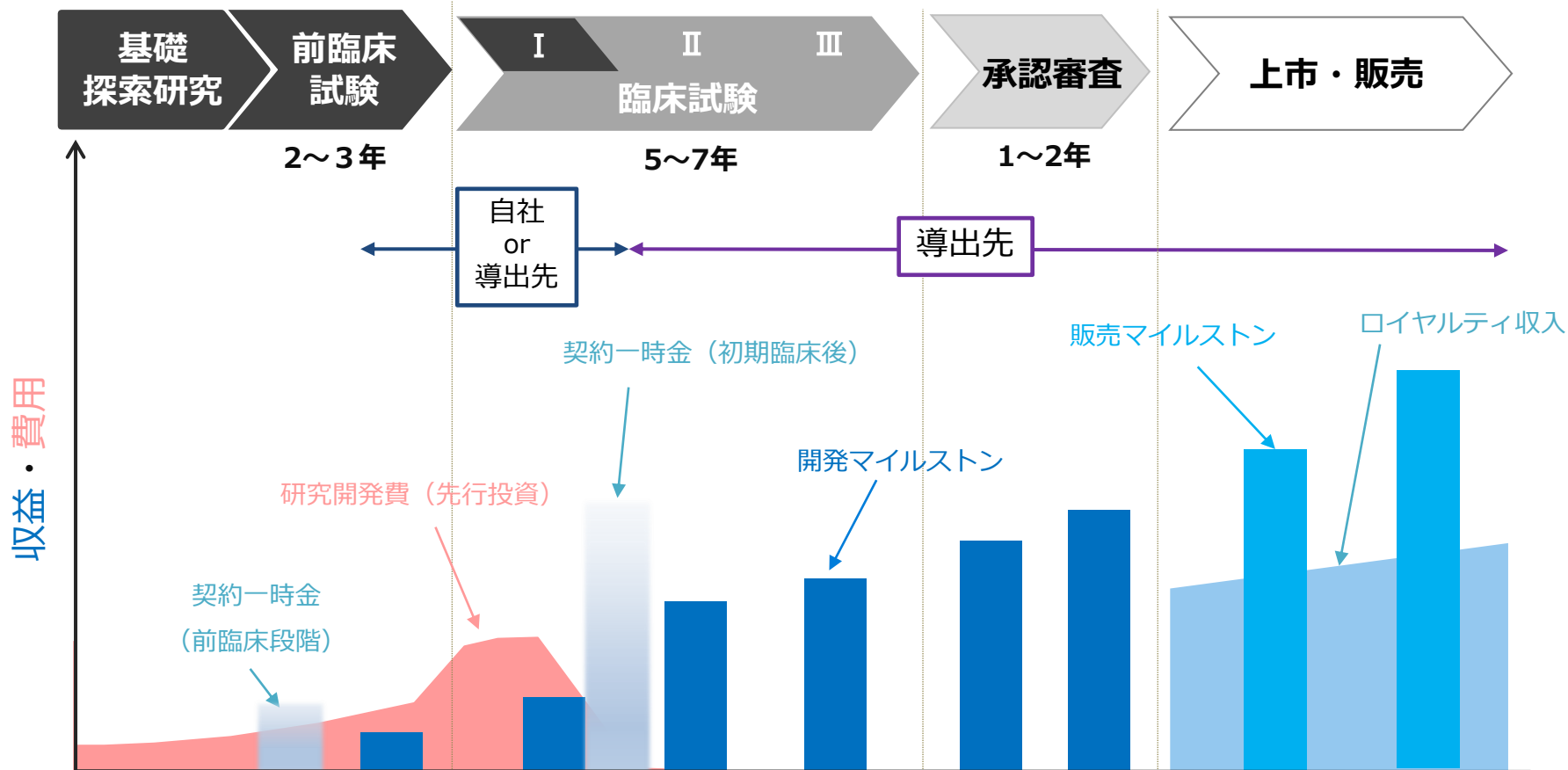


創薬支援事業における主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社	2018年10月
協和キリン株式会社	2019年 7月

創薬事業の（一般的な）収益イメージ



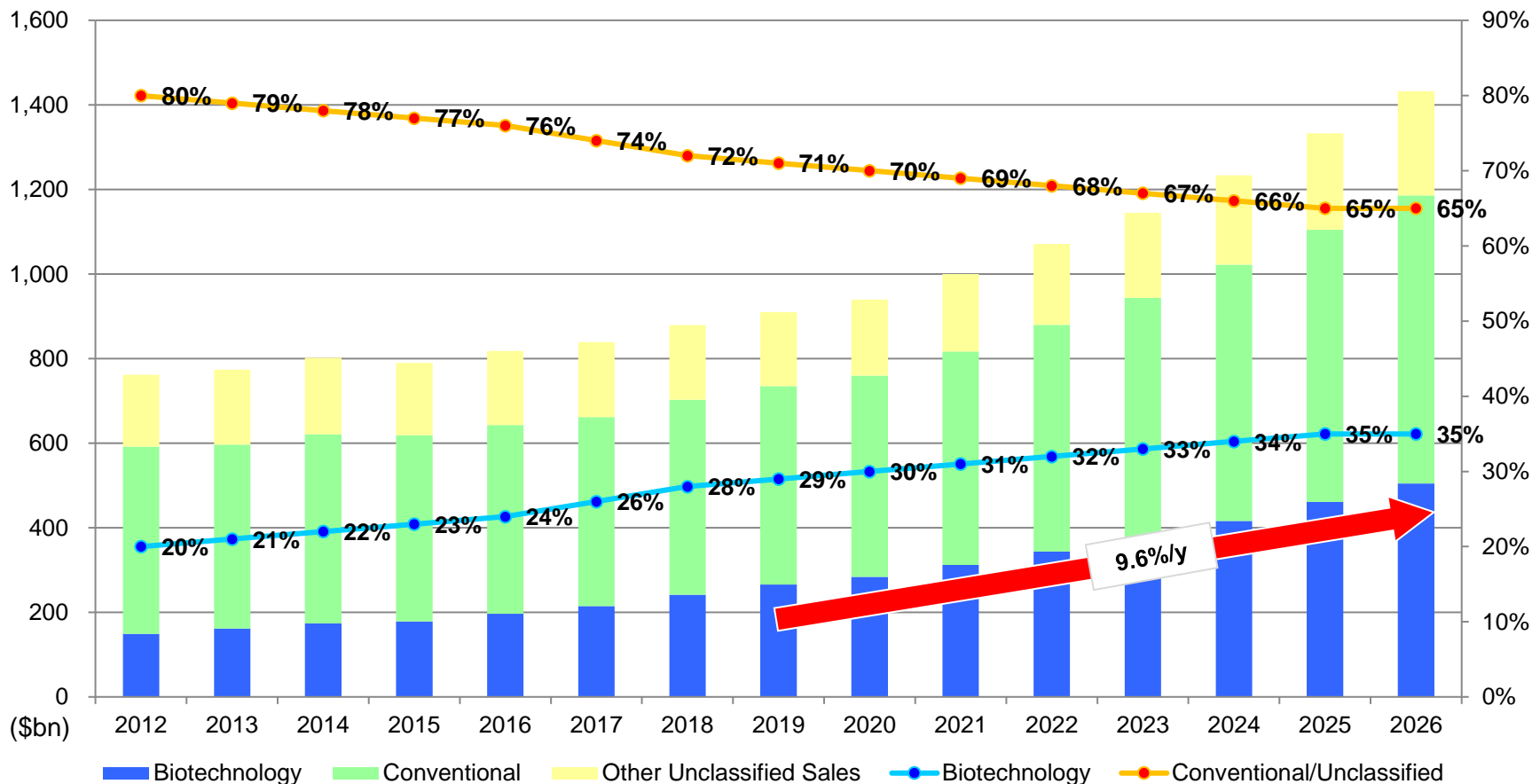
ステージの進展に伴い、受領するマイルストンの金額が増大。
上市後は販売金額に一定料率をかけたロイヤルティも発生。



※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。



Biotechnology（主に抗体医薬）が医薬品市場の伸長をけん引



(出典) : EvaluatePharma® World Preview 2020, Outlook to 2026



2020年の医薬品売上高上位10位に7つの抗体医薬品製剤

医療用医薬品の売上ランキング（2020年）

NO	製品名	会社名	主な適応疾患	モダリティ	売上高 2020 (百万ドル)	売上高 2020 (億円※)
1	ヒュミラ	アッヴィ/エーザイ	関節リウマチ	抗体	20,389	21,408
2	キイトルーダ	メルク	がん	抗体	14,380	15,099
3	アイリーア	リジェネロン/バイエル/参天	加齢黄斑変性	蛋白質	8,360	8,778
4	ステラーラ	J&J	乾癬	抗体	7,975	8,374
5	オプジーボ	小野/BMS	がん	抗体	7,888	8,282
6	エンブレル	アムジェン/ファイザー/武田	関節リウマチ	蛋白質	6,346	6,663
7	トルリシティ	イーライリリー	糖尿病	ペプチド	5,377	5,646
8	アバスチン	ロシュ	がん	抗体	5,321	5,587
9	オクレバス	ロシュ	多発性硬化症	抗体	4,612	4,843
10	レミケード	J&J/メルク/田辺三菱	関節リウマチ	抗体	4,511	4,737

赤字：抗体医薬品

青地：蛋白質製剤

※1USD = 105JPYで換算

(出典) : 日経バイオテクonlineより一部改変

抗体医薬品と低分子医薬品の主な違い



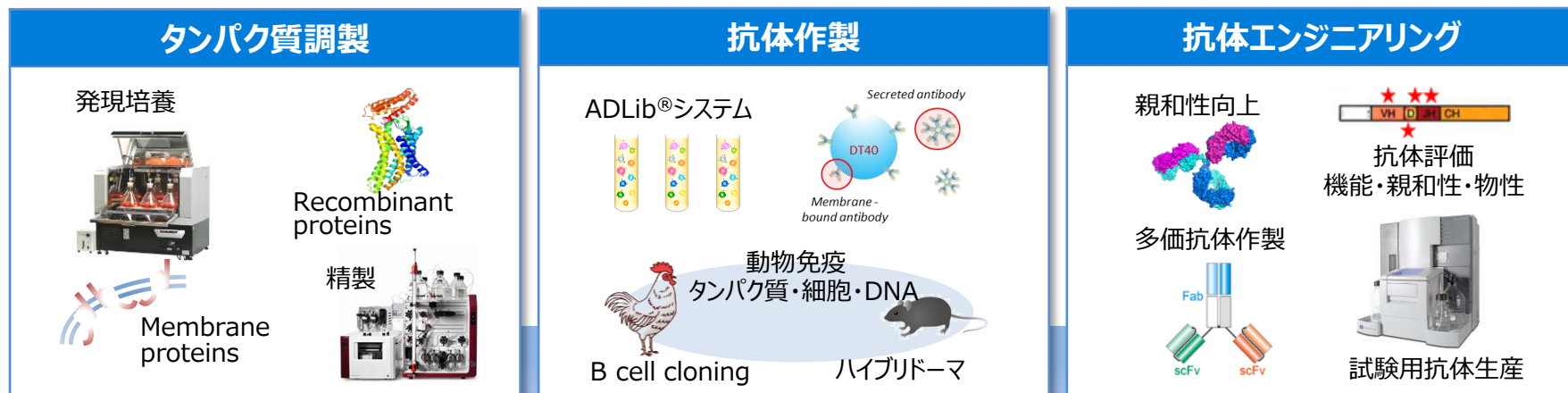
抗体医薬品は、バイオ技術（遺伝子組換え）がもたらした有用な医薬品

	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ため、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2-3回、毎日服用
ターゲット特異性	高い（抗体の基本的コンセプト）	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



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。

当社の優位性

技術プラットフォームを活かし創薬事業と創薬支援事業の両ビジネスの推進が可能、持続的な利益の創出へ

創薬事業

成長を担う事業

創薬支援事業

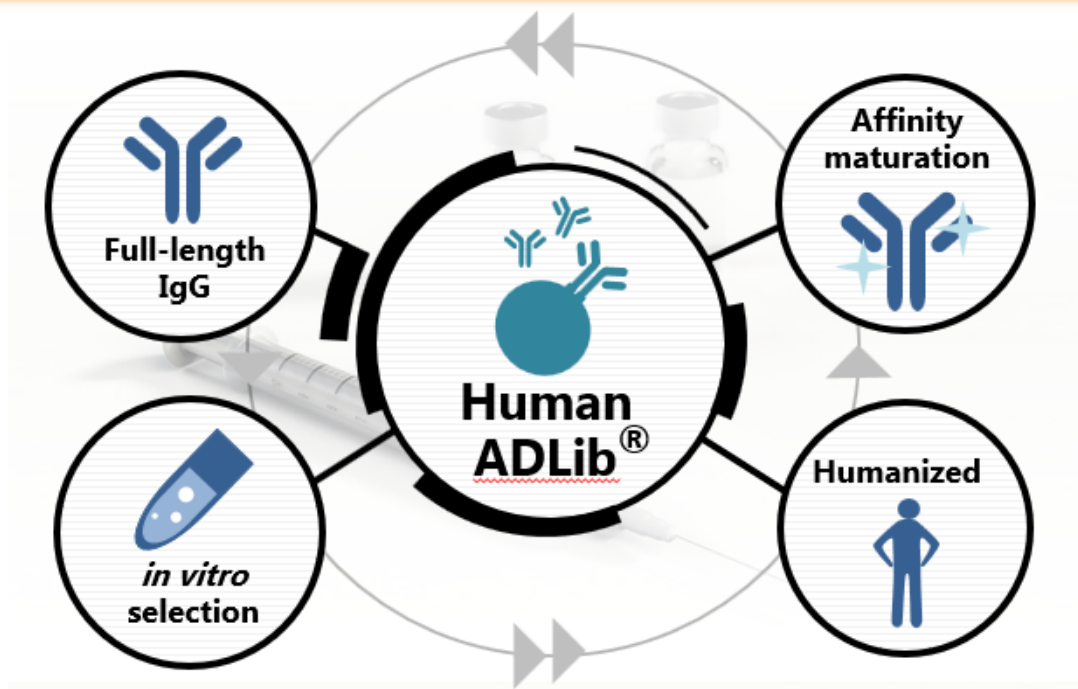
安定的な収益を獲得する事業

2つの事業を支えるコア技術 : Human ADLib[®] System



One-stop-order platform for antibody drug discovery

ADLib[®]システムは、ユニークな配列空間を持つライブラリにシームレスなAffinity maturationを加えたユニークなプラットフォームです。1つのプラットフォームでSelection, Full-length IgGの発現、ヒト化、Affinity maturationまでの抗体創薬に必要なステップをすべて完結できる、ワンストップオーダーの創薬・研究のツールです。



ヒトADLib[®]システムの抗体創薬開発における技術の有用性を「Cellular & Molecular Immunology」で公表
(東京大学大学院総合文化研究科と当社との共同研究成果)

タイトル : Streamlined human antibody generation and optimization by exploiting designed immunoglobulin loci in a B cell line (<https://www.nature.com/articles/s41423-020-0440-9>)

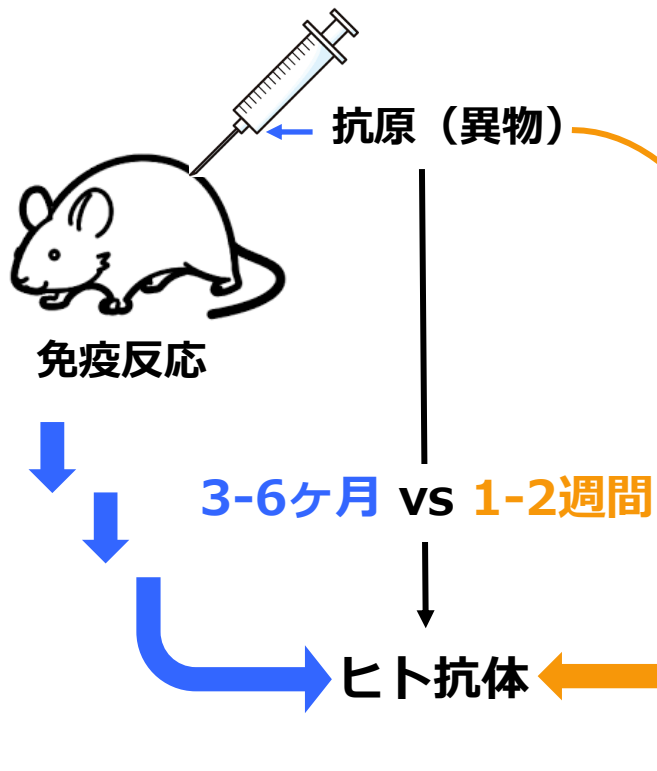
論文のポイント : <https://www.c.u-tokyo.ac.jp/info/news/topics/files/20200527sobunotseo01.pdf>



生体（動物）を使わずに培養細胞（試験管内）でヒト抗体を作製する方法

動物免疫法

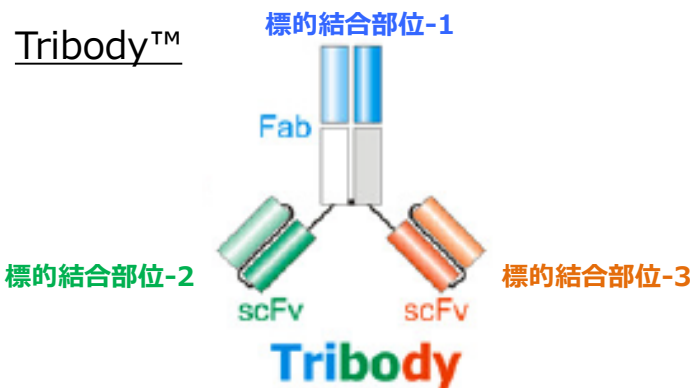
ADLib[®]法



- 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
- 早く抗体を取っていち早く特許出願

ADLib[®]ライブラリ

コア技術： Tribody™ (多価抗体作製技術)

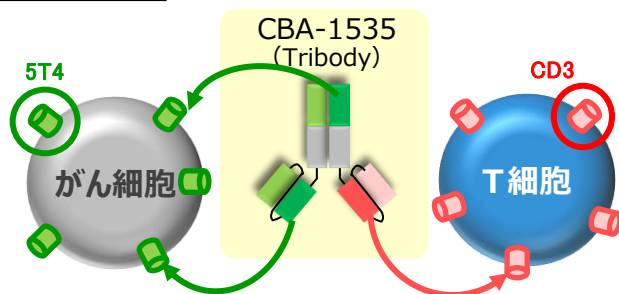


Tribody™は分子工学的手法により作製した複数の抗原に対する特異性を持つ多重特異性抗体で、1つの分子の中に3つの異なる抗原結合部位があり、異なる機能を組み合わせることが可能となる技術。



Tribody技術により医薬品候補物質を創製

CBA-1535



- 5T4というがん細胞に発現している標的を2本の手でがっちり掴み、がんを攻撃するT細胞上のCD3を3本目の手が掴む
⇒ がん細胞の近くにT細胞を引き寄せる。
- 5T4を他のがんの特異的なターゲットに代える、または1つのがん細胞に発現している2種類のターゲットを掴むことも可能

結合する標的や結合する手の数の組み合わせにより、従来の医薬品にない特徴を有する抗体の創製が期待されます。



創薬事業/創薬パイプライン



開発ステージの異なる複数のパイプラインを保有

パイプラインのステージ	パイプライン (PJ) の数
導出済 LIV-1205 (ADCT-701) , LIV-2008/2008b	2
自社開発品 (臨床段階) CBA-1205, CBA-1535	2
導出候補品 (前臨床段階) BMAA, PCDC	2
創薬プロジェクト	5

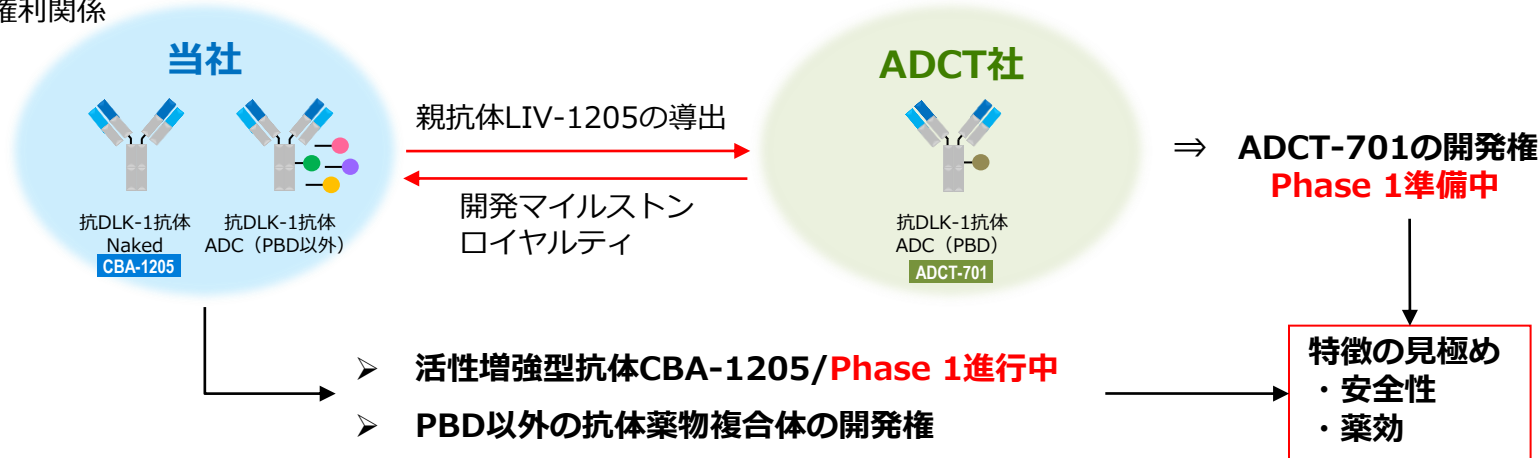
ADCT-701 (ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体の薬物複合体) 標的分子：DLK-1

特徴	DLK-1を標的とした抗体薬物複合体 (ADC)
想定適応疾患	神経芽細胞腫、肝細胞がん、小細胞肺がん等
知財	ヒト化抗DLK-1抗体：日本・米国・欧州・中国他で特許成立。

- ✓ ADCT-701は、カイオムが開発した抗体LIV-1205とPBD※の抗体薬物複合体。
(※Pyrrolobenzodiazepine：抗腫瘍特性を有する薬物)
- ✓ ADCT社は2022年のADCT-701のIND申請に向けて準備中。
- ✓ ADCT社は米国国立がん研究所 (NCI) と神経内分泌がんの共同開発へ。

(ADCT社HP：[Our Pipeline - ADC Therapeutics](#))

抗DLK-1抗体の権利関係



ADCT-701 市場性



※ADCT-701の開発計画は現時点で未公表であり、また、ADCT社で小細胞肺癌や神経芽細胞腫を適応症とした開発が実施されるか未定です。本市場性に関する内容は同社HPに掲載されている情報に基づき、DLK-1が発現する疾患へのご理解を深めていただく目的で、当社が作成しております。

	小細胞肺癌	神経芽細胞腫
患者数※1	<p>米国において、2020年に推定される肺癌（小細胞肺癌および非小細胞肺癌を合わせて）の新規症例数および死亡数。 新規症例数：228,820 / 死亡数：135,720</p> <p>小細胞がんは肺癌の10-15%程度にみられる組織型で、非小細胞がんに比べて発育が早く、小さなうちから転移をおこしやすいがんである。</p>	<p>神経芽細胞腫は交感神経系組織が存在する副腎髄質および傍脊髄部または傍大動脈部に原発する腫瘍。</p> <p>米国のがん統計（The Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER)）では7,000出生児に約1人の頻度で、15歳未満の小児における年間発症率は1万人あたり約1人が発症するとされ、米国では年間800名、日本では年間150から200名程度の新規発症例があると推定されている。</p>
DLK-1の発現※2	小細胞肺癌の患者さんの50%以上でDLK-1の発現が見られる。	High-riskの神経芽細胞腫患者さんでDLK-1の過剰発現が見られる。
標準治療※3	<p>小細胞肺癌の治療の中心は薬物治療。</p> <p>早期の場合は手術を行うことや、がんが一部にとどまっている(限局型)の場合には、体の状態によって放射線治療を合わせて行うこともある。</p>	<p>標準治療が確立されておらず、国際神経芽腫リスク分類（INRGリスク分類）を用いたリスク分類に従って治療法が選択される。</p> <p>中リスク群および高リスク群の患者さんに対して、化学療法（薬物療法）は外科手術の前に薬物投与が行われる。</p>
競合品	細胞障害性抗がん剤、分子標的薬、血管新生阻害薬、免疫チェックポイント阻害薬などによる治療が行われている。	海外では分化誘導療法や免疫療法（抗GD2抗体）、併用療法として大量MIBG治療などが行われている。

※1 <https://www.cancer.org/content/dam/cancer-org/research/cancer-facts-and-statistics/annual-cancer-facts-and-figures/2020/cancer-facts-and-figures-2020.pdf>

<https://www.jfcr.or.jp/hospital/cancer/type/lungs.html>

※2 <https://academic.oup.com/jb/article-abstract/148/1/85/886024>

※3 https://www.ncc.go.jp/jp/ncce/clinic/thoracic_surgery/060/020/index.html

※1 <https://www.cancer.org/cancer/neuroblastoma/about/key-statistics.html>
<https://www.shouman.jp/>

※2 https://mct.aacrjournals.org/content/18/12_Supplement/LB-B04

※3 <https://ganjoho.jp/child/cancer/neuroblastoma/treatment.html>



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

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報告されている分子。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許成立。

2021年1月 Shanghai Henlius Biotech, Inc.とのライセンス契約を締結

中華人民共和国、台湾、香港およびマカオにおける開発、製造および販売権を当社がHenlius社にサブライセンス権付きで許諾。全世界における権利についてはオプション権を付与。

(Henlius社HP：[HKEX-EPS 20210114 9583899 0.PDF \(windows.net\)](#))

経済条件

上記のオプション権を行使して全世界での開発、製造および販売を行う場合、オプション行使時の一時金と開発および販売の進捗に応じたマイルストーンの総額は最大約122.5百万USドルの契約。また、本医薬品が上市された場合には販売額に応じた一定料率のロイヤルティ収入を受領する。

TROP-2の市場性（先行品/競合品）



競合品・ マーケット	TROP-2を治療標的としたADC抗体が先行して上市・開発されている。 上市済 TRODELVY™（ギリアド・サイエンシズ） 開発中 Dato-DXd（第一三共/アストラゼネカ）
TRODELVY™※1	米国Immunomedicsが創製した抗Trop-2抗体とトポイソメラーゼ阻害薬の抗体薬物複合体（ADC）。 2020年4月、米国で転移性トリプルネガティブ乳がんの承認取得。 ギリアド社のImmunomedics買収完了前の期間を含む2020年通年のTrodelvy（sacituzumab govitecan-hziy 180 mg）売上高は137百万ドル。
Dato-DXd※2 DS-1062	第一三共株式会社が創製した抗Trop-2抗体とトポイソメラーゼ I 阻害剤の抗体薬物複合体（ADC）。 2020年7月、英アストラゼネカ社とグローバルな開発及び商業化契約と締結。現在、非小細胞がんを対象とした臨床第3相試験を実施中。
LIV-2008/2008b の差別化のポイント・期待値	LIV-2008/2008bは動物モデルでの単独投与試験で複数のがん種において顕著な腫瘍増殖阻害効果を示す。導出先が進める臨床開発において先行品との安全性や有効性の差別化を期待。

※1 <https://investors.gilead.com/static-files/079f6f7e-62bb-44c9-88e9-64b48d9be9f5>

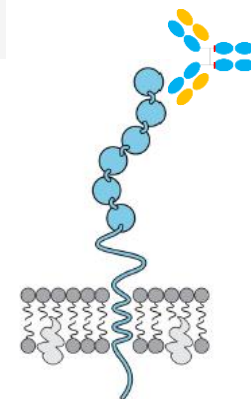
※2 <https://www.daiichisankyo.co.jp/rd/pipeline/>



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。糖鎖改変技術GlymaxX (ProBioGen)を用い、ADCC活性を有する。
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。



臨床第1相試験 前半Part：患者さんでの安全性を確認
後半Part：肝細胞がん患者さんで安全性の確認と有効性の評価

解決すべきアンメットニース

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。

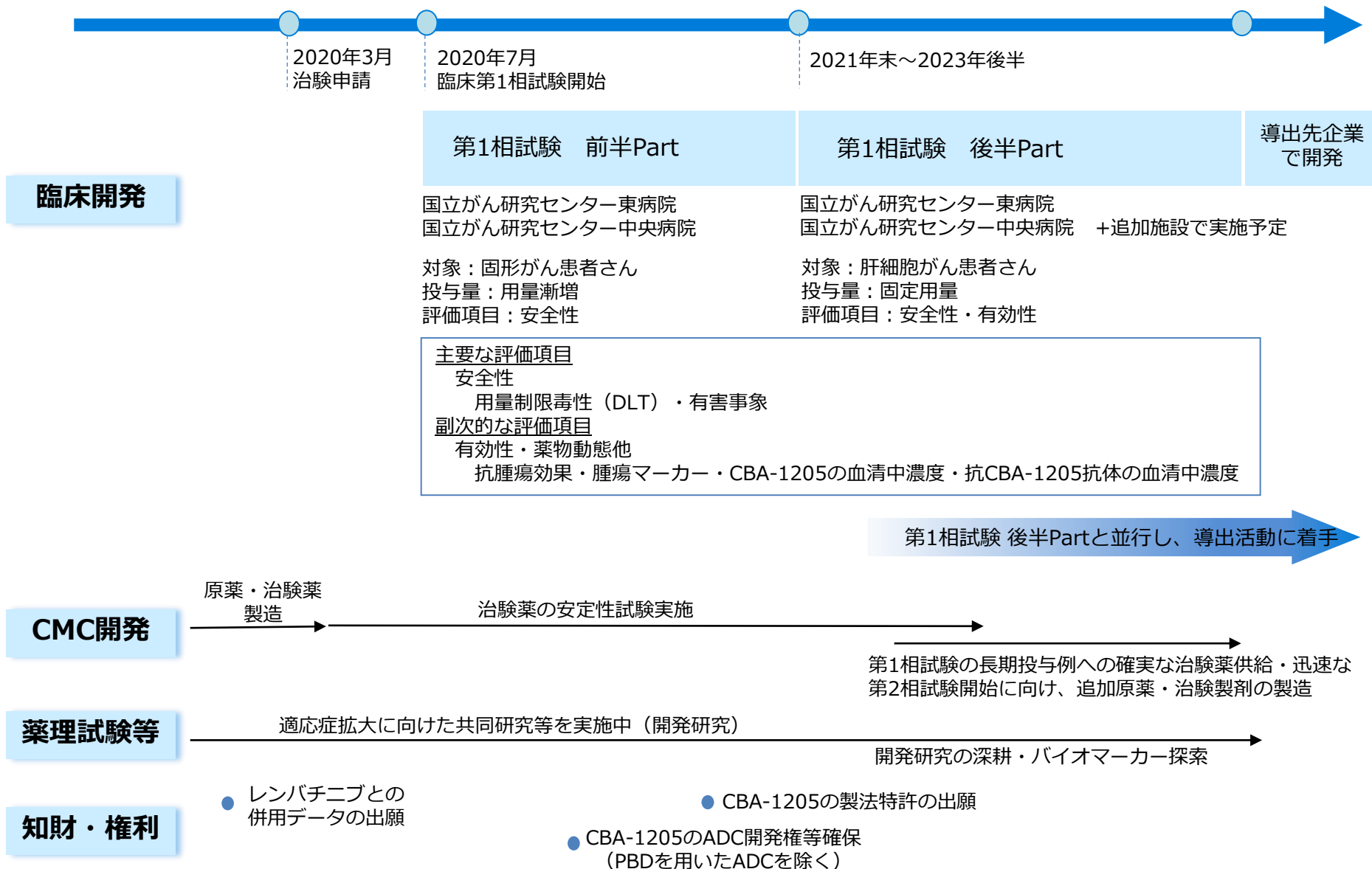
米国がん学会 (AACR) の年次集会でのポスター発表

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>)

(2019年4月 AACR)

CBA-1205 開発計画・事業計画





患者数※1	840,000人（2018年） 毎年約84万人が新たに発症 アフリカ、アジアで罹患率が高い傾向
DLK-1の発現※2	肝がん患者の約20%、小細胞肺がんの患者の50%で発現
標準治療※3	治療の中心は外科的療法 1. 外科療法：患部の切除 2. 局所療法：エタノール注入療法やラジオ波焼灼療法 等 3. 冠動脈塞栓術 外科手術後、 切除不能な進行性肝細胞がんに対して薬物治療を実施
競合品	ネクサバル®、レンビマ®、テセントリク® - アバスチン®
マーケット※4	2020年9月、抗PD-L1抗体と抗VEGF抗体の併用療法が承認された。

※1: <http://www.wcrf.org/int/cancer-facts-figures/data-specific-cancers/liver-cancer-statistics>

※2: <https://academic.oup.com/jb/article-abstract/148/1/85/886024>

※3: <https://ganjoho.jp/public/cancer/liver/treatment.html>

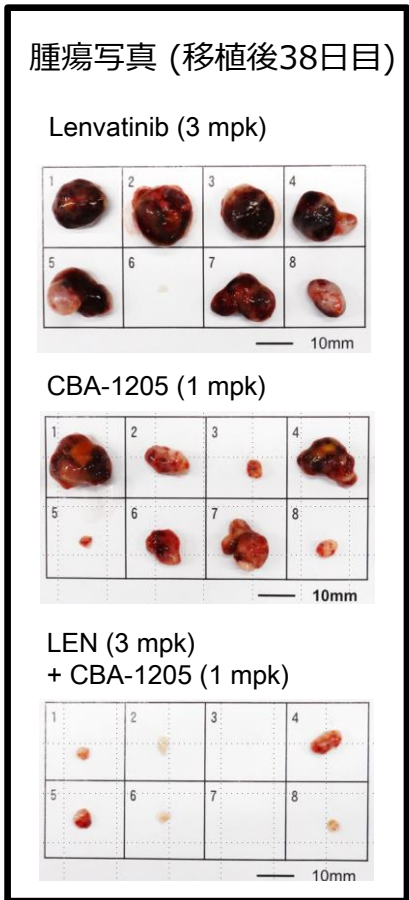
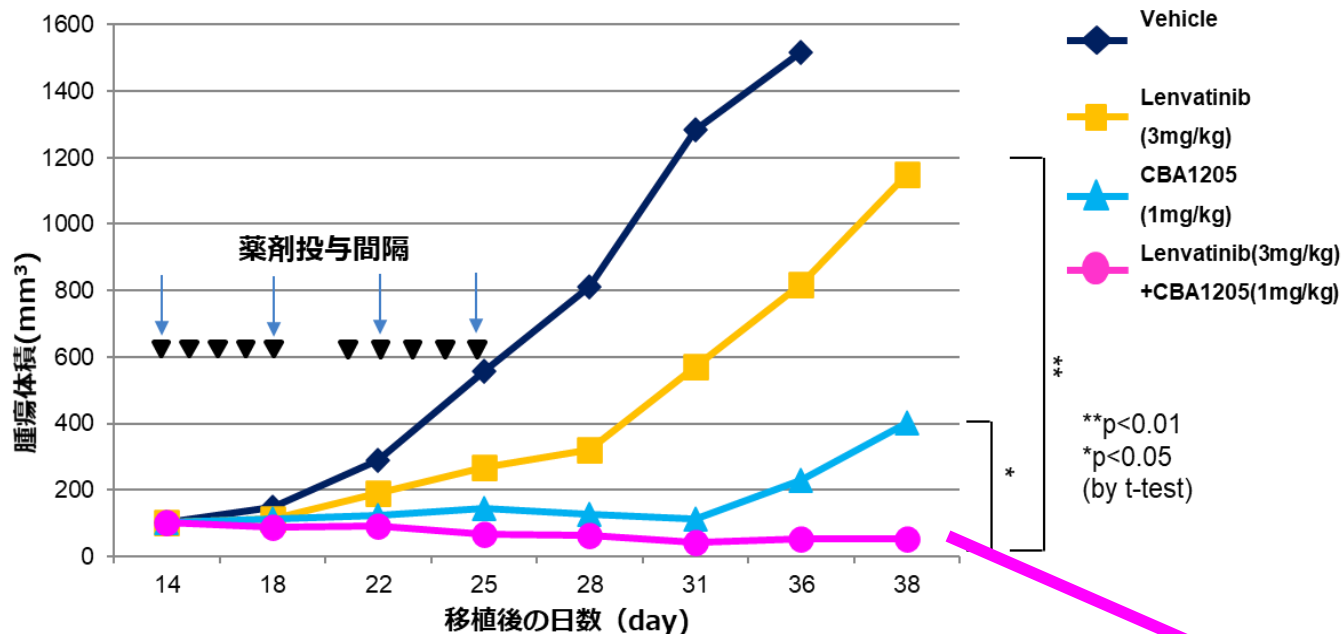
※4: <http://www.evaluategroup.com/View/21340--1002-modData/product/nexavar>



特許情報「CBA-1205とレンバチニブの併用」 ~レンバチニブの併用により持続的・強い腫瘍増殖抑制及び腫瘍縮小効果を発揮~

公開番号 WO/2020/204033

肝癌ゼノグラフトモデル（Hep3B）での併用効果



薬剤投与形態及び投与間隔

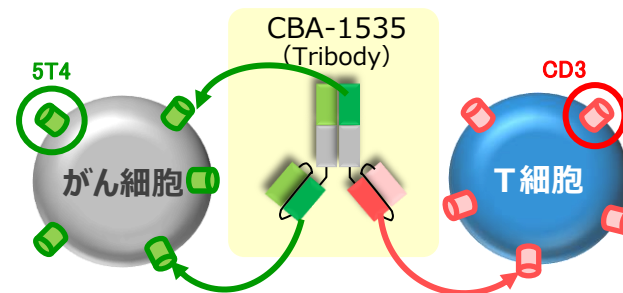
CBA-1205 : 腹腔内投与 週2ペースで計4回
 Lenvatinib: 経口投与 週5ペースで計10回



CBA-1535（ヒト化抗5T4・抗CD3二重特異性抗体） 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・英国・米国・中国で特許成立。欧州他で特許出願中

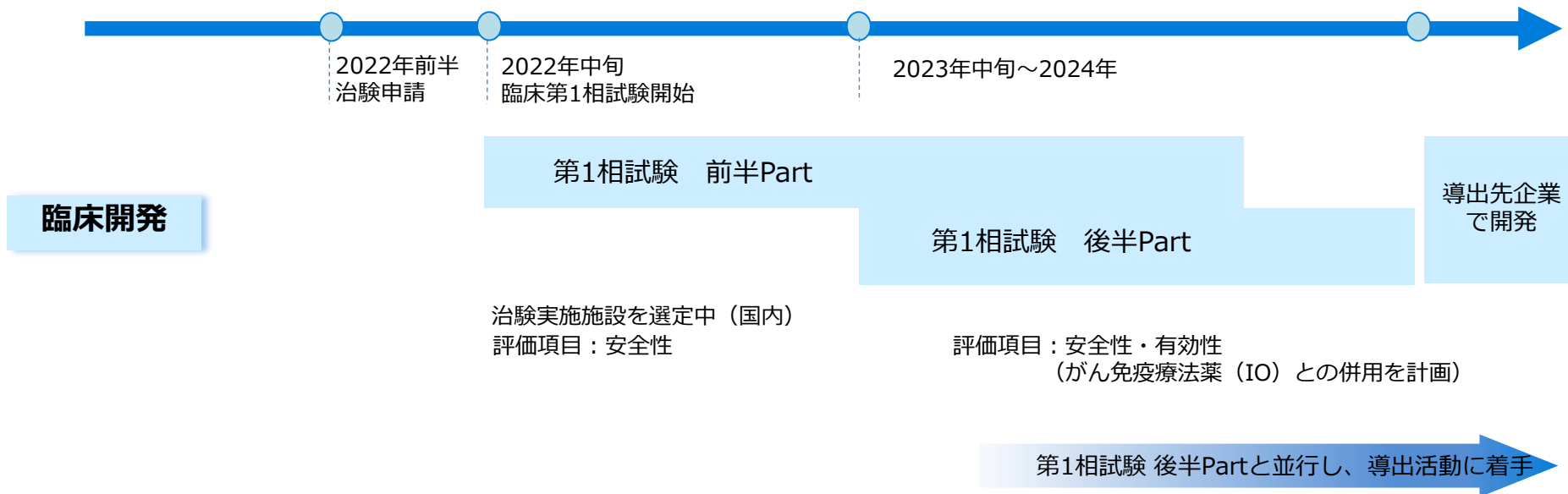
- ✓ スイスCelonic社（CMO）へ治験薬製造のための技術移管、原薬及び製剤の試験製造を終了。
- ✓ 新型コロナの収束が見通せない中では、当初計画した英国での治験ではなく、相対的に開発への影響が少ない日本国内での治験申請へ。
- ✓ 治験申請時期は22年前半を見込む。



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。

CBA-1535 開発計画・事業計画等 (Tribody創薬の価値最大化)



臨床開発

治験実施施設を選定中 (国内)
評価項目：安全性

評価項目：安全性・有効性
(がん免疫療法薬 (IO) との併用を計画)

第1相試験 後半Partと並行し、導出活動に着手

※CBA-1535の臨床開発のプランは今後、治験申請、治験実施施設との協議を経て、決算短信や決算補足資料等で適宜概要をお知らせいたします。



CMC開発

Tribody創薬

CBA-1535に続くTribody創薬 (がん) を推進中。新規のパイプライン化 (がん・非がん領域含め) を目指す。

⇒CBA-1535/Tribody創薬 (がん) の導出パッケージによる製品価値最大化へ。



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

特徴	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	非開示
期待	免疫系疾患、神経疾患等、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。SemaThera社がオプション権行使の判断にはまだ時間を要すること、当社での独自の研究開発活動及び事業機会を確保することを目的とし、両者合意の上で本契約を終了。
- ✓ 海外の研究機関とともにセマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた共同研究を推進しており、本研究から取得されるデータも用いて今後の事業開発活動に繋げる。



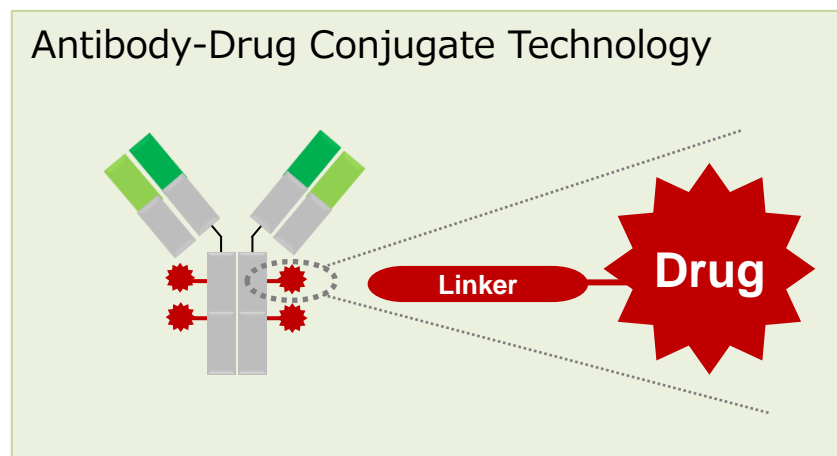
PCDC（ヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体）

標的分子：CDCP1

ファーストインクラス

経緯	当社が創製したヒト化抗CDCP-1抗体
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	『抗CDCP1抗体』（PCT国際出願中）

- ✓ ADC用途を中心とした導出活動を推進中
並行して追加動物試験実施
- ✓ 2021年7月、世界知的所有権機関（WIPO）
において出願特許情報が公開



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 (ADC)				2017.9~
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				2021.1~

自社パイプライン

★ファーストインクラス

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				第1相試験中
CBA-1535 (Tribody™)	5T4×CD3 ×5T4	がん				臨床試験準備中
★ BMAA	SEMA3A	非開示				導出活動中
★ PCDC	CDCP1	がん (ADC)				導出活動中
創薬研究 プロジェクト (5件)	非開示	がん 感染症 中枢神経				—

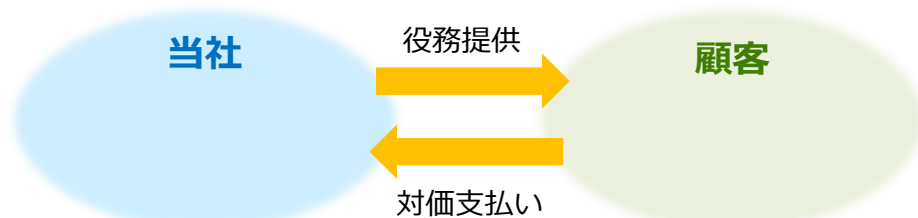


創薬支援事業



安定的な収益確保と副次的には将来のビジネス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。

包括取引契約/共同研究/ADLib抗体の使用料



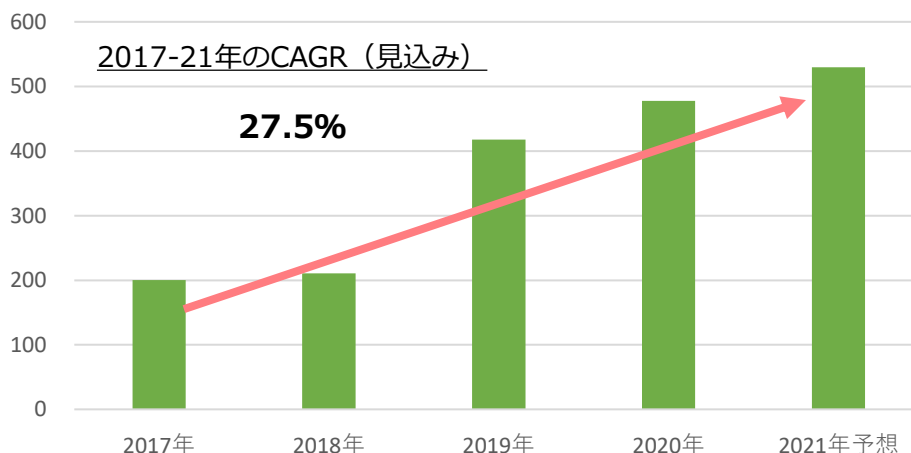
創薬支援事業の概況・主な取引先



国内製薬企業との取引を中心に事業を拡大中。
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な技術・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。

<主要な取引先>

取引先名称	契約類型	契約締結年月
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
田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	委受託包括取引	2016年12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

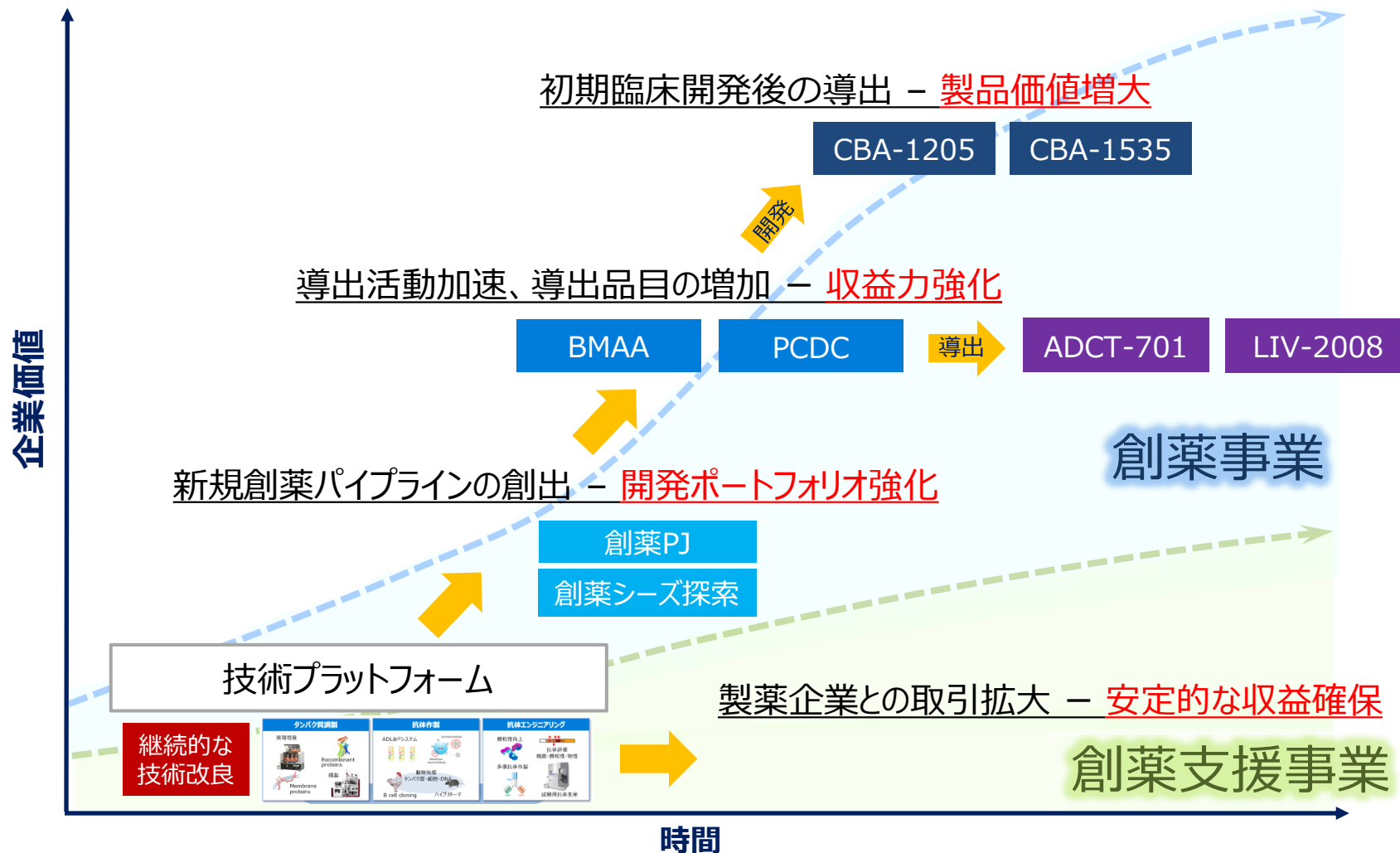


成長戦略・開発計画

当社の成長戦略と今後の施策



アンメットニーズに対する抗体医薬品候補を複数創製、
製品価値の増大や導出による事業化に注力し、企業価値を向上を目指す

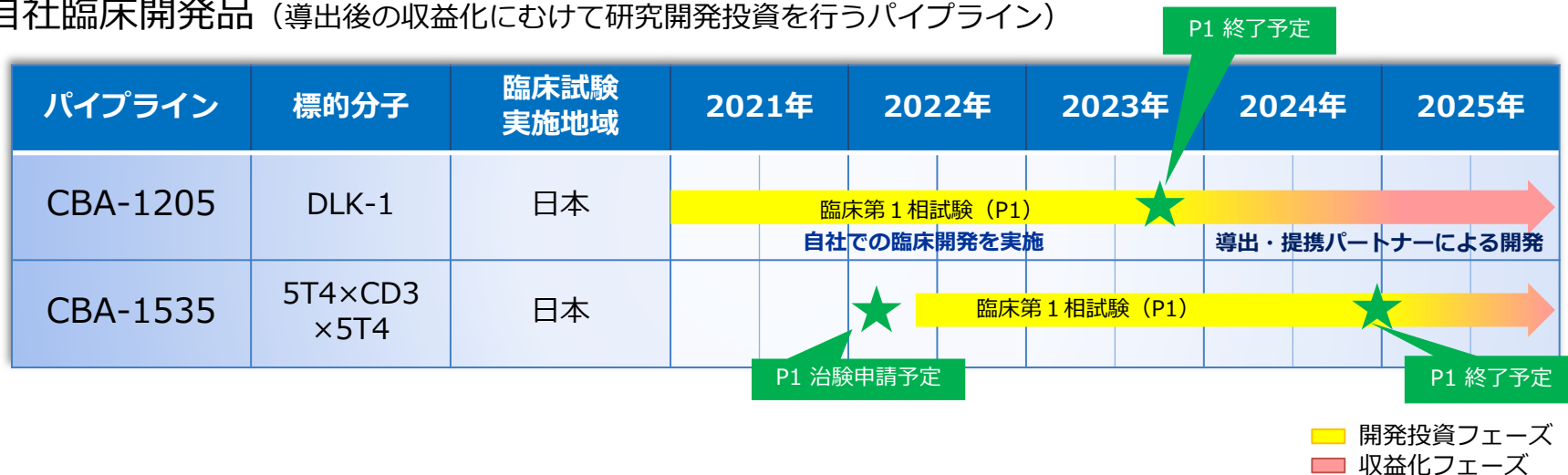


主なパイプラインの開発計画

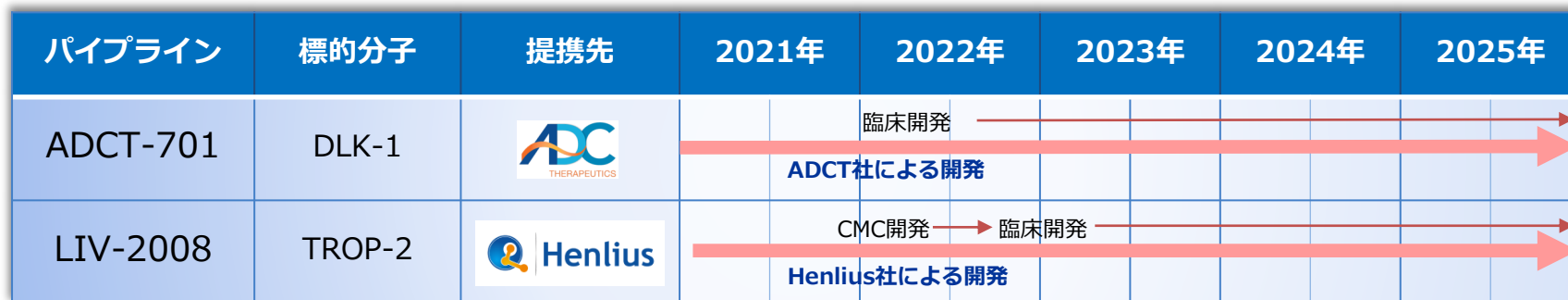


2023年末以降、自社臨床開発品の導出により大型契約の締結を目指す

自社臨床開発品（導出後の収益化にむけて研究開発投資を行うパイプライン）



導出品（開発マイルストーン等を受領する収益化フェーズのパイプライン）



※提携パートナーによる開発の見通しは本資料作成時点における当社の予測を記しておりますが、提携先企業の戦略や外部環境等の影響によりスケジュールが変更されることがあります。



継続的に創薬事業への研究開発投資を行い、持続的な成長の実現へ

	1パイプライン（取引）あたりの		収益化の時期	
	投資規模	収益規模		
創薬事業 成長を担う事業	大 （開発決定導出までの 数年間で10～20億円）	大	初期臨床開発後の 導出以降	ハイリスク・ハイリターン型
	中 （研究開始から導出までの 数年間で～数億円）	中～大	前臨床段階での 導出以降	ミドルリスク・ミドルリターン型 または ミドルリスク・ハイリターン型
創薬支援事業 安定的な収益を獲得する事業	—	小 （ただし、年間を通して継 続的に取引が発生します）	短期	安定収益獲得型

当社は持続的な成長発展に向けて1つのパイプラインに収益を依存せず、複数の抗体創薬パイプラインの創出・開発と導出による収益化を目指しております。そのため、現在の自社開発品段階のパイプラインが導出された後も、新たな導出品・開発候補パイプライン創出にむけた研究開発投資・成長投資を継続することを想定しております。本投資にかかる資金は創薬事業・創薬支援事業から得られる収益、および計画的な資金調達により確保し、持続的な成長発展を目指してまいります。なお、直近3年間では第14回新株予約権により1,336百万円、第17回新株予約権により1,941百万円の資金調達を完了し、当社創薬パイプライン等の研究開発資金として充当しております。

当面、CBA-1205/1535の臨床開発費用を中心に年間の研究開発費※は10億円～15億円のレンジを想定。

※研究開発の内訳：臨床開発プログラム（第1相試験まで）2本/新規創薬研究/基盤技術改良/研究機器の購入、及び付随費用



事業ハイライト・今後の見通し

2021年12月期 事業進捗ハイライト（第3四半期決算まで）



CBA-1205 ヒト化抗DLK-1 モノクローナル抗体	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 臨床第1相試験前半パートの症例登録・用量漸増が予定より早く進捗。当初の想定より試験を拡大し、追加の安全性データの取得中。
CBA-1535 ヒト化抗5T4・抗CD3 二重特異性抗体	<ul style="list-style-type: none"> ✓ コロナ禍における材料不足の影響は限定的、原薬・治験薬製造のプロセスが予定通り順調に進捗。 ✓ 非臨床試験データを基に国内規制当局への相談の結果、2022年前半に日本での治験申請が可能と判断。 ✓ 1月米国・9月中国での特許査定（現在、日米欧中で特許成立）
LIV-2008 (Henlius社へ導出)	<ul style="list-style-type: none"> ✓ Shanghai Henlius Biotech, Inc.とLIV-2008およびLIV-2008bのライセンス契約締結（2021年1月）
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"> ✓ 海外の研究機関とともにセマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた共同研究を推進。
PCDC ヒト化抗CDCP1 モノクローナル抗体	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 新規パイプライン（ADC用途に適した抗体）。導出活動の推進、並行して追加動物試験実施。 ✓ 世界知的所有権機関（WIPO）特許出願情報公開。
創薬支援事業 業績	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 主要顧客との取引の拡大により2021年Q3売上高（438百万円）は前期比で41.5%増加。 ✓ Mologic社との感染症領域での共同研究契約締結。
技術	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 特許査定：ヒトADLib®のライブラリ(欧州・中国)、ADLib®の抗体取得方法(日本・米国)、ADLib®の抗体可変領域の多様化促進方法(欧州) ✓ 東京医科歯科大学よりヒトADLib®システムで取得した抗HMGB1抗体を用いて実施したアルツハイマー症治療の研究成果を発表。



創薬事業 - 自社パイプライン

CBA-1205

ヒト化抗DLK-1
モノクローナル抗体

- ✓ 2021年末～22年前半に第1相試験後半パートへ移行、23年内に終了予定。後半パートは国立がん研究センター及び新たな施設で試験実施へ。
- ✓ 導出時の価値向上にむけ想定適応症の拡大やバイオマーカー探索に向けた研究も注力。

CBA-1535

ヒト化抗5T4・抗CD3
二重特異性抗体

- ✓ 日本での2022年前半の治験申請、第1相試験の前半パートは22年央に投与開始を目指す。
- ✓ 第一相試験前半パートで安全性及びTribodyのPoPAの取得、後半パートではがん免疫療法薬（IO）との併用試験による初期の有効性評価を想定。
- ✓ Tribodyプラットフォームの更なる展開を図る。

BMAA

ヒト化抗セマフォリン3A
モノクローナル抗体

- ✓ これまでに取得した糖尿病性黄斑浮腫等のBMAAのデータに加え、海外の研究機関との共同研究から取得される他の疾患モデルのデータも用いて事業開発活動を実施。

PCDC

ヒト化抗CDCP1
モノクローナル抗体

- ✓ ADC用抗体として薬効評価や安全性評価を進め、導出を展開。

その他創薬PJ

- ✓ 重点化プロジェクトの特許出願及び新規パイプライン化（事業化）。
- ✓ Tribodyを活用しT-Cell engagerとしての新たな組み合わせ創薬に注力。



創薬事業 - 導出品

ADCT-701 (ADCT社へ導出)

- ✓ ADCT社により2022年のIND申請および臨床試験に向けた準備が進行中。
- ✓ 米国国立がん研究所（NCI）と神経内分泌がんの共同開発へ。

LIV-2008 (Henlius社へ導出)

- ✓ Henlius社で開発フォーマットの決定、治験薬製造等を経て、臨床試験が進められる予定。イベントの達成に応じたマイルストーンの発生の可能性あり。

創薬支援事業

付加価値向上・ 取引拡大

- ✓ ADLib®システムを基盤とする新規の独自技術の開発推進により既存顧客の高度なニーズに応え取引を拡大へ。
- ✓ 製薬会社を中心とした取引を深耕化、事業拡大基調を維持継続を目指す。
- ✓ 加えて、昨年から取引を始める製薬企業との個別取引を深耕化し、新たな包括契約等の獲得を目指す。
- ✓ 新宿ラボの拡張、及び研究機器増設・リプレイスの実施。

技術

技術

- ✓ 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成事業に参画（ADLib®システム技術改良）



その他の情報

重要な契約



PJコード	標的分子	導出先	概要	テリトリー	ステージ
ADCT-701 (LIV-1205)	DLK-1	ADC Therapeutics	抗DLK-1抗体とPBDの複合体（ADC抗体）の開発・製造・販売権の実施許諾。開発・販売に応じたマイルストーン、及び売上に応じたロイヤルティを受領する。	全世界	Preclinical
LIV-2008	TROP-2	Shanghai Henlius Biotech	抗TROP-2抗体の開発・製造・販売権の実施許諾。オプション一時金、マイルストーンの総額は最大約122.5百万USドル。上市後は売上に応じたロイヤリティも発生。	中国・台湾・香港・マカオ (全世界のオプション権付)	Preclinical

顧客名	概要	期間
富士レビオ	ADLib®システムの非独占的实施許諾及び共同研究開発契約 ADLib®システムの使用により取得した体外診断用医薬品の製造及び販売に係る実施許諾	特許期間満了まで

顧客名	概要	期間
中外製薬	抗体作製に関する委託研究を実施	2011年7月1日から2024年12月31日まで
CPR	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日から2026年12月31日まで
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日から2022年3月31日まで（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日から2020年7月28日まで（以後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	体細胞相同組換えの促進方法及び特異的抗体の作製方法	日本・米国・欧州・中国で成立。
	体細胞相同組換えの誘発方法	
	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。 米国で出願中。
	抗体の取得方法	日本・米国で成立。 欧州・中国で出願中。
	抗体可変領域の多様化を促進する方法	欧州で成立。 日本・米国・中国で出願中。

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 6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・英国・中国で成立。 欧州で出願中。
LIV-2008	物質特許	in vivoで抗腫瘍活性を有する抗ヒトTROP-2抗体 (ヒト化)	日本・米国・欧州・中国を含む 10カ国で成立。
BMAA	物質特許	抗セマフォリン3A抗体、並びにこれを用いたアルツハイマー病及び免疫・炎症性疾患の治療	日本・米国・欧州で成立。

財務概要 (2021.3Q末時点)



貸借対照表	(百万円)	2020年12月期末	2021年12月期3Q末
	流動資産	3,248	2,675
	(現預金)	2,686	2,071
	(その他)	562	604
	固定資産	246	274
	資産合計	3,494	2,950
	流動負債	342	468
	固定負債	41	53
	負債合計	384	522
	純資産合計	3,109	2,428
	負債・純資産合計	3,494	2,950

損益計算書	(百万円)	2020年12月期3Q	2021年12月期3Q	増減
	売上高	312	541	229
	(創薬事業)	2	103	100
	(創薬支援事業)	309	438	128
	売上原価・販管費	1,392	1,392	0
	(研究開発費)	951	860	△90
	(その他)	441	532	90
	営業損失 (△)	△1,080	△850	229
	経常損失 (△)	△1,087	△843	244
	当期純損失 (△)	△1,087	△842	245



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

当社の技術プラットフォームを用いた創薬により、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・導出することで、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。

※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2022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。