



# 事業計画及び成長可能性に関する ご説明資料 (2022年8月版)

---

2022年8月16日

株式会社キャンバス  
(東証グロース 4575)

## はじめに～ご挨拶

当社は、「がんを治したい」という思いをもとに2000年1月に創業して以来一貫して、独自の抗がん剤候補化合物を自社で創出し臨床開発を進めてまいりました。

現在、最先行の候補化合物・免疫着火剤CBP501は、一般に極めて難治とされる膵臓がん3次治療を対象とする臨床第1b相試験で薬効を示唆する力強いデータを獲得し、現在は臨床第2相試験を順調に進めています。

また、後続パイプラインである可逆的XPO1阻害剤CBS9106は、ライセンス先Stemline社が臨床第1相試験を完了し、次相臨床試験が検討されています。

さらに、次世代の臨床開発パイプラインを創出する基礎研究活動も順調に進んでいます。

特にNEXTプロジェクトにおいては、がん免疫関連低分子化合物のスクリーニングや、ペプチド医薬品・高分子医薬品の合成、用法用量の検討、併用戦略の策定など、多面的なアプローチでがん免疫領域の創薬に取り組んでおり、有望な化合物CBT005を獲得しています。

当社は、自社創出の各パイプラインについて、製薬企業等との提携による事業収益による開発資金調達や共同開発・開発費負担軽減を原則的な形として取り組んでいます。

しかし一方で、製薬企業等の提携選好は流動的であり、提携成立を最優先にすることは開発リスクやコストの分担と利益配分のバランスの面などで当社の利益を損ないかねません。

また提携成立後はさまざまな点で、相手先の経営意思決定に大きく左右されるなど、提携・導出のみに依存した企業価値成長戦略には大きな潜在リスクが内在します。

当社は、各パイプラインの状況ごとにそうしたリスクとメリットを勘案し、最適の提携モデルを選択していきます。

当社のような研究開発段階の創薬企業の価値向上は、ひとえに、適切な適応疾患領域における開発の進捗によってもたらされます。

私たちは、適時的確な情報開示を徹底しつつ、株主・投資家の皆様のご支援に支えていただき、今後もスピード感を持って研究開発や事業開発・広報に取り組み、その成果が正当な企業価値にすみやかに反映されるよう邁進します。

皆様には引続き一層のご支援ご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。

2022年8月

株式会社キャンバス 代表取締役 河邊拓己



# 会社概要・強み・事業モデル

---

キャンバスは、自社創出・複数の臨床開発パイプラインを有する  
抗がん剤研究開発に特化した創薬企業です

- 会社名 株式会社キャンバス  
          英文名： CanBas Co., Ltd.  
          証券コード： 4575
- 代表者 河邊 拓己 （代表取締役社長 M.D., Ph.D.）
- 本社 静岡県沼津市大手町2-2-1
- 設立年月日 2000年1月18日
- 事業内容 抗がん剤の研究開発
- 従業員 13名  
          うち 研究開発部門 10名（派遣等による専従者1名含む）  
          管理部門 3名

### 事業目標

より良い抗癌剤を一日も早く患者さんにお届けすること

### 経営理念

フェアであること  
科学的・倫理的・経済的に正しい道を最短の距離・時間で進むこと

## 業務執行取締役



### 河邊拓己 (かわべ たくみ) 代表取締役社長

内科医、医学博士。京都大学大学院分子医学系専攻修了（免疫研究所所属）。京都大学ウイルス研究所助手、ワシントン大学（セントルイス）へポスドクとして留学。名古屋市立大学医学部分子医学研究所で助教授在任中、科学創業者として当社創業に参画。2001年当社取締役就任を経て2003年から代表取締役社長。



### 加登住眞 (かとうみ まこと) 取締役最高財務責任者兼経営企画室長

日本合同ファイナンス（現ジャフコグループ）で投資営業部門と企画部に従事した後、2000年にバイオ特化VC・MBLベンチャーキャピタルの設立に参画。同VC常務取締役として多数の国内バイオ企業への投資を実行。同VCの投資先であった当社へ2005年に転籍、取締役CFO就任。



### 坂本一良 (さかもと かずよし) 取締役管理部長

チェースマンハッタン銀行東京支店、NIFコーポレートマネジメント取締役を経て、2008年に当社入社。2010年取締役経営企画部長就任、2020年から取締役管理部長。



### 日比野敏之 (ひびの としゆき) 取締役最高執行責任者兼研究開発部長

中外製薬で臨床開発等に携わった後に金融業界へ転じ、三菱UFJ証券（現三菱UFJモルガン・スタンレー証券）および三井住友アセットマネジメント（現三井住友DSアセットマネジメント）で医薬品セクターアナリストを歴任。2020年当社に入社、研究開発部長。2021年に取締役就任、最高執行責任者を兼任。

## 取締役監査等委員

### 松崎恭子（まつざき きょうこ）取締役監査等委員

日本コカコーラを経て2003年当社常勤監査役就任、2016年に取締役監査等委員就任。

### 白川彰朗（しらかわ あきら）取締役監査等委員

日本合同ファイナンス（現ジャフコグループ）、ジャフコ公開コンサルティングでVC投資とIPOコンサルティングに従事した後、1998年インテリジェント・キャピタルゲイトを創業し社長就任。2006年当社非常勤監査役就任、2016年に取締役監査等委員就任。

### 古田利雄（ふるたとしお）取締役監査等委員

篠崎芳明法律事務所（現篠崎・進士法律事務所）を経て1993年古田利雄法律事務所（現弁護士法人クレア法律事務所）を設立し代表弁護士就任。2007年当社非常勤監査役就任、2016年に取締役監査等委員就任。モダリス取締役監査等委員を兼任。

### 小宮山靖行（こみやま やすゆき）取締役監査等委員

住友銀行（現三井住友銀行）勤務を経て社会保険労務士として2004年に独立。2016年社会保険労務士法人みくりや社中を設立、代表就任。2016年に取締役監査等委員就任。

## SAB（科学顧問会議）

### Daniel D. Von Hoff, M.D., F.A.C.P.

トランスレーショナル・ゲノミクス・リサーチ・インスティテュート (TGen) フィジシャン・イン・チーフ、特別教授  
メイヨー・クリニック教授  
オナーヘルス・リサーチ・インスティテュート チーフサイエンティフィックオフィサー  
US オンコロジー メディカルディレクター・オブ・リサーチ、チーフサイエンティフィックオフィサー  
元FDA Oncology Drug Advisory Committee (ODAC)メンバー  
2002年、当社SAB組成時にチェアマン就任。

### Donald W. Kufe, M.D.

ハーバード大学医学部教授  
ダナファーバー癌研究所副所長（臨床第1相試験ディレクター及び臨床プログラムリーダー）  
2002年、当社SAB組成時に就任。

## キャンバスの強み (1) 基礎研究と臨床開発の連携サイクル

- 独自に創出した複数の化合物を臨床開発段階に進めている実績があります
  - ✓ 本社に研究所と動物実験施設を有し基礎研究に注力
  - ✓ 米国FDA規制下での臨床開発体制を社内に構築（外部協力機関の効率的な活用）





## キャンバスの強み (2) がん免疫に着目したパイプライン戦略

### 中長期の企業価値の源泉として重視

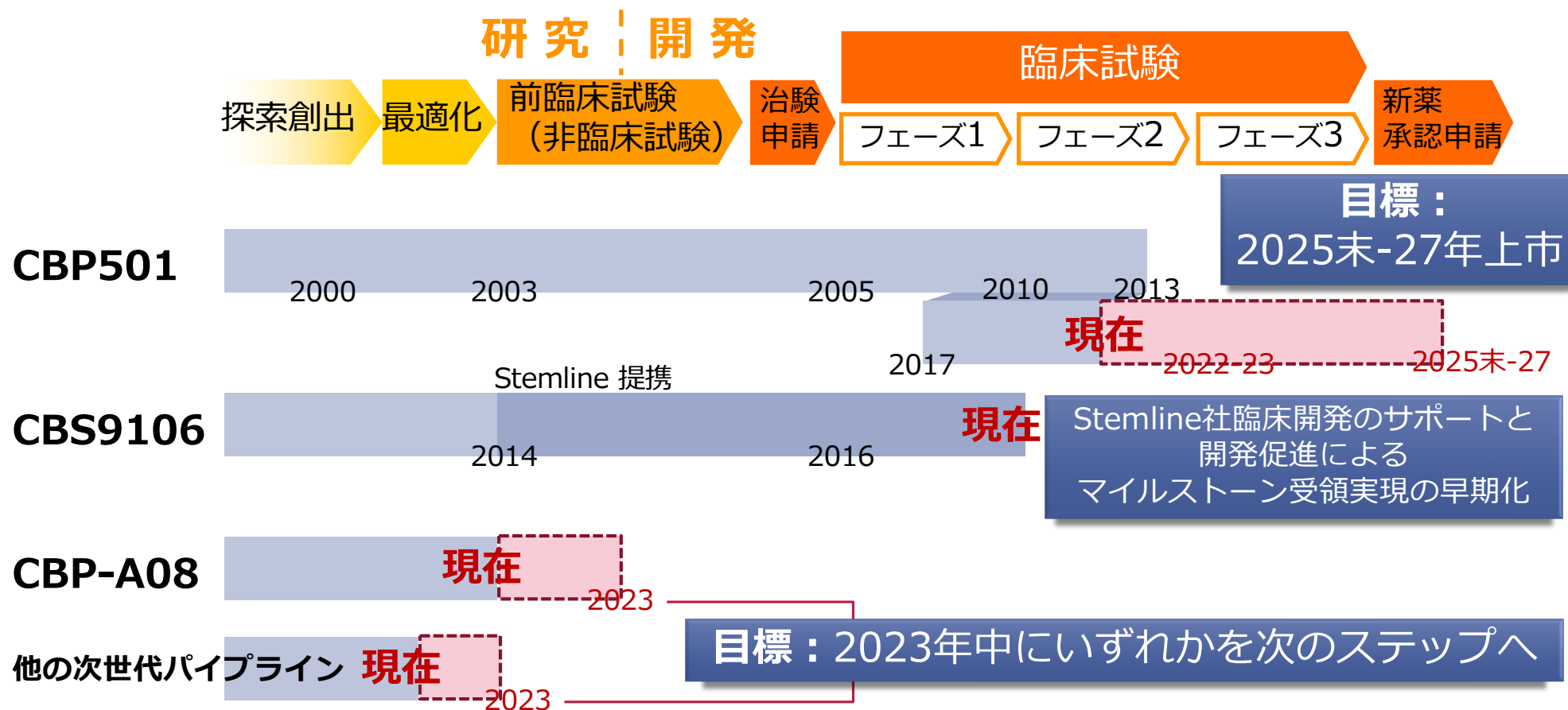
	探索・創出	最適化	前臨床試験	臨床試験	提携・導出 共同研究
<b>CBP501</b>				第2相試験ステージ1実施中	
<b>CBS9106</b>	前臨床試験終了し導出済み			第1相試験完了	Stemline社
<b>CBP-A08</b> CBP501の系譜に属する ペプチド型免疫系抗がん剤	最適化終了				
<b>NEXTプロジェクト</b> がんの「治癒」を目指す 免疫系抗がん剤 (CBP-Bシリーズと統合)	CBT005				
<b>IDO/TDO阻害剤 ほか※</b>					静岡県立大学 ほか

※ 上記のほか、がん免疫領域で広く基礎研究を展開しています。

※ IDO/TDO二重阻害剤は、COVID-19（新型コロナウイルス感染症）新規治療薬としての研究も継続（2020年8月4日公表）

※前回から一部進展

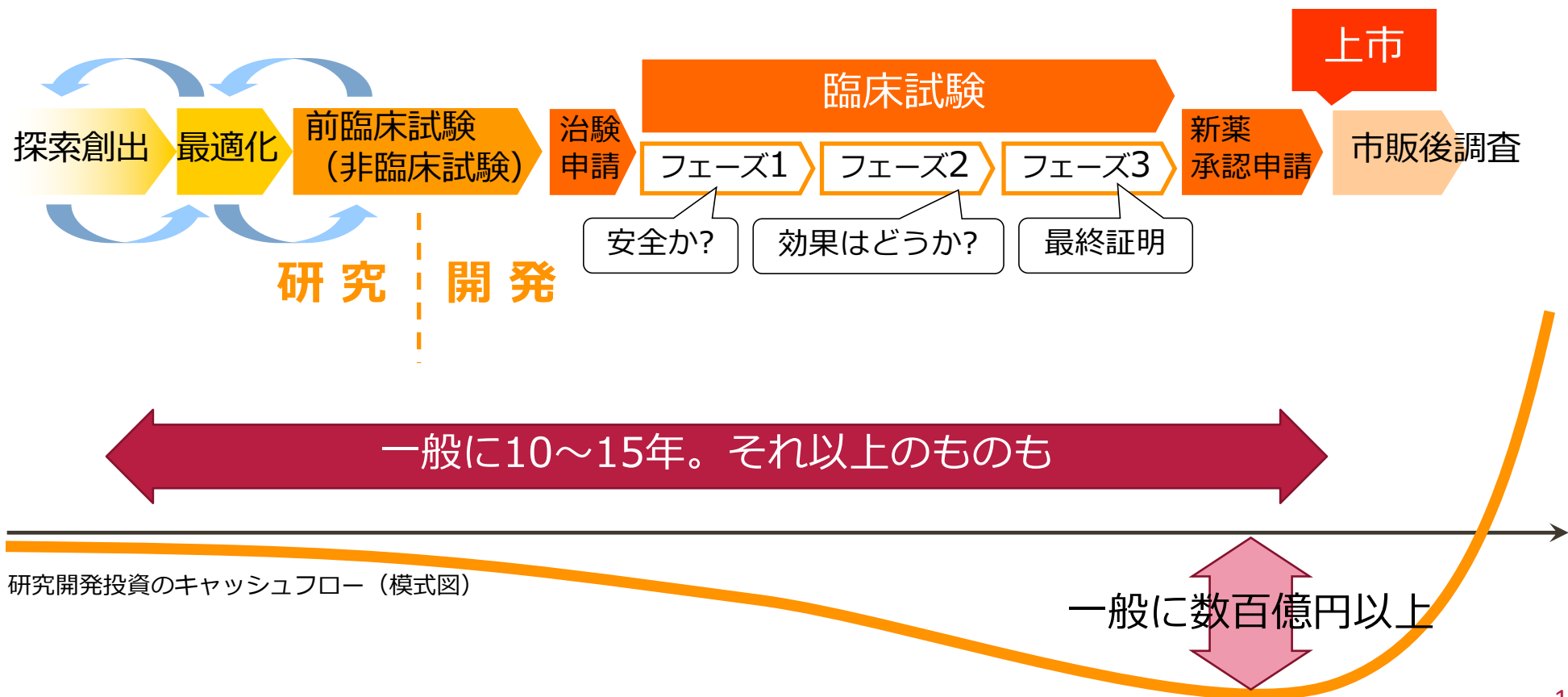
# 各パイプラインの歩み・現状・目標



※前回から一部進展

# キャンバスの事業モデル (1) 創薬の流れと開発投資・時間軸

## 「創薬」の流れ



## キャンバスの事業モデル (2) 柔軟な開発シナリオ分岐

■ 自社で基礎研究・創出から後期臨床開発まで進めた実績があります

■ これを活かし、開発パイプラインごとの特徴に沿ったシナリオ分岐が可能です

- 開発パイプラインごとの開発段階・成功確率・費用見込などに沿って使い分け、中長期的な企業価値の効果的な最大化を図ることが可能です
- CBP501は自社開発を進めつつ提携獲得活動継続中。  
一方で、状況に応じ自社で承認まで開発するシナリオも選択肢に入れ得る状況です
- CBS9106は前臨床試験段階で導出し、提携先負担で開発進行中。  
将来のマイルストーン収入とロイヤルティ収入を見込んでいます
- 後続のパイプライン候補も基礎研究の成果として生み出されています

# 創薬企業の2つの事業モデル \*二者択一という意味ではありません

研究開発投資のキャッシュフロー（模式図）

自社で承認近くまで開発  
(ハイリスク・ハイリターン)

比較的早期に提携先等と分担  
(ミドルリスク・ミドルリターン)

## ☒ ポジティブ面

- 後期開発に伴うリスク（資金調達含む）の転嫁
- 一時金・マイルストーンで早めの収益が実現

## ☒ ネガティブ面

- 開発進行の主導権が導出先へ移行
- 利益分配への発言機会小 = 獲得機会・比率の毀損

## ☒ ポジティブ面

- 化合物を最も知る自社が開発の主導権を掌握
- 利益分配への発言機会大 = リターンの最大化


## ☒ ネガティブ面

- 後期開発に伴うリスク（資金調達含む）の保有
- 収益実現までの期間の長期化

### 創薬企業の価値 ≡ 開発パイプライン価値の総和

#### ➤ 開発パイプライン価値の検討要素

- ✓ 開発パイプラインの成功（上市）可能性
- ✓ 成功までの時間軸
- ✓ 上市後の市場規模
- ✓ 競合状況
- ✓ 独占期間 . . .

 創薬企業の本質的な事業は、上記のひとつひとつを改善し、

中長期的な企業価値を最大化すること = 開発の進捗

# 開発パイプラインの状況

---

## 免疫着火剤 CBP501

- フェーズ1b試験：膵臓がん3次治療で良好な結果
  - 病勢コントロール43%・白血球数正常値患者群でOS中央値5.9ヶ月
  - MSS直腸大腸癌でも良好な結果を示す（当面の臨床試験は膵臓がんを優先）
- **好感触を踏まえ臨床第2相試験を実施中。併せて提携獲得活動を活発化しています**
  - ✓ 臨床試験の月間進捗状況を開示 2021年12月分 2022年1月分 2月分 3月分 4月分 5月分 6月分 7月分
  - ✓ ステージ1の被験者登録予定数36名の登録完了（2022年8月16日公表）
  - ✓ 3剤併用投与群のひとつで奏効（がんの縮小）を確認（2022年6月15日公表） → **有効性の示唆か**
  - ✓ 3剤併用投与群で複数の長期無増悪生存（2022年6月20日公表） → **ステージ2または第3相への進行が確定**

## 可逆的XPO1阻害剤 CBS9106 (Felezonexor)

- 提携先Stemline社による米国臨床第1相試験完了
  - ✓ 臨床第1相試験完了（2022年2月14日）
- **XPO1阻害剤のベスト・イン・クラスを目指し、次相試験が計画されています**

※前回から一部進展



# 免疫着火剂 CBP501

---

# 免疫着火剤CBP501：臨床第2相試験進捗直近状況 (1)

## 被験者登録と実施施設開設：当初計画を前倒して8月中旬に完了

➤ 月次進捗サマリー \*8月分は現地時間15日まで

	2021年 12月	2022年 1月	2月	3月	4月	5月	6月	7月	8月*
被験者登録 単月	3	1	3	4	5	5	9	—	6
累計	3	4	7	11	16	21	30	30	36
実施施設開設 単月	1	—	—	2	1	2			
累計	15	15	15	17	18	20			

- ✓ ステージ1被験者登録予定36名の半数登録を5~6月達成の当初見込み → **5月達成**
- ✓ 実施施設数当初目標20件 → **5月達成** (新規開設終了)
- ✓ 被験者登録達成の当初社内目標8~9月 → **8月15日** (現地時間) **被験者登録完了**

※前回からページ追加

### 現在までに確認されているデータ

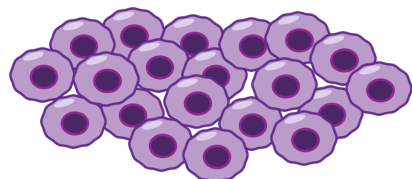
- 臨床第2相試験の今後のスケジュール・シナリオ等に影響を及ぼす情報
  - ✓ 3剤併用投与群のひとつで複数の長期無増悪生存を確認 (2022年6月20日公表)  
→ 当該3剤投与群が**ステージ2または第3相へ進行することが確定**しました
  
- 有効性を示唆する情報
  - ✓ 3剤併用投与群のひとつで奏効 (がんの縮小) を確認 (2022年6月15日公表)
  
- 安全性
  - ✓ 現時点で、フェーズ1b試験までに想定された範囲外の情報はありません

※前回からページ追加

# 免疫系抗がん剤の効きにくい「免疫コールド」ながん

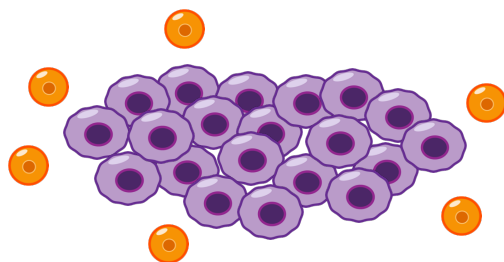
攻撃するための  
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に  
入り込めていない

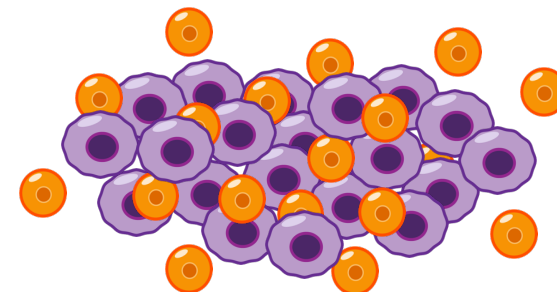
免疫排除



免疫コールドながんを  
免疫ホットながんに  
変えることが必要

T細胞が十分に  
がんを攻撃できる

免疫ホット

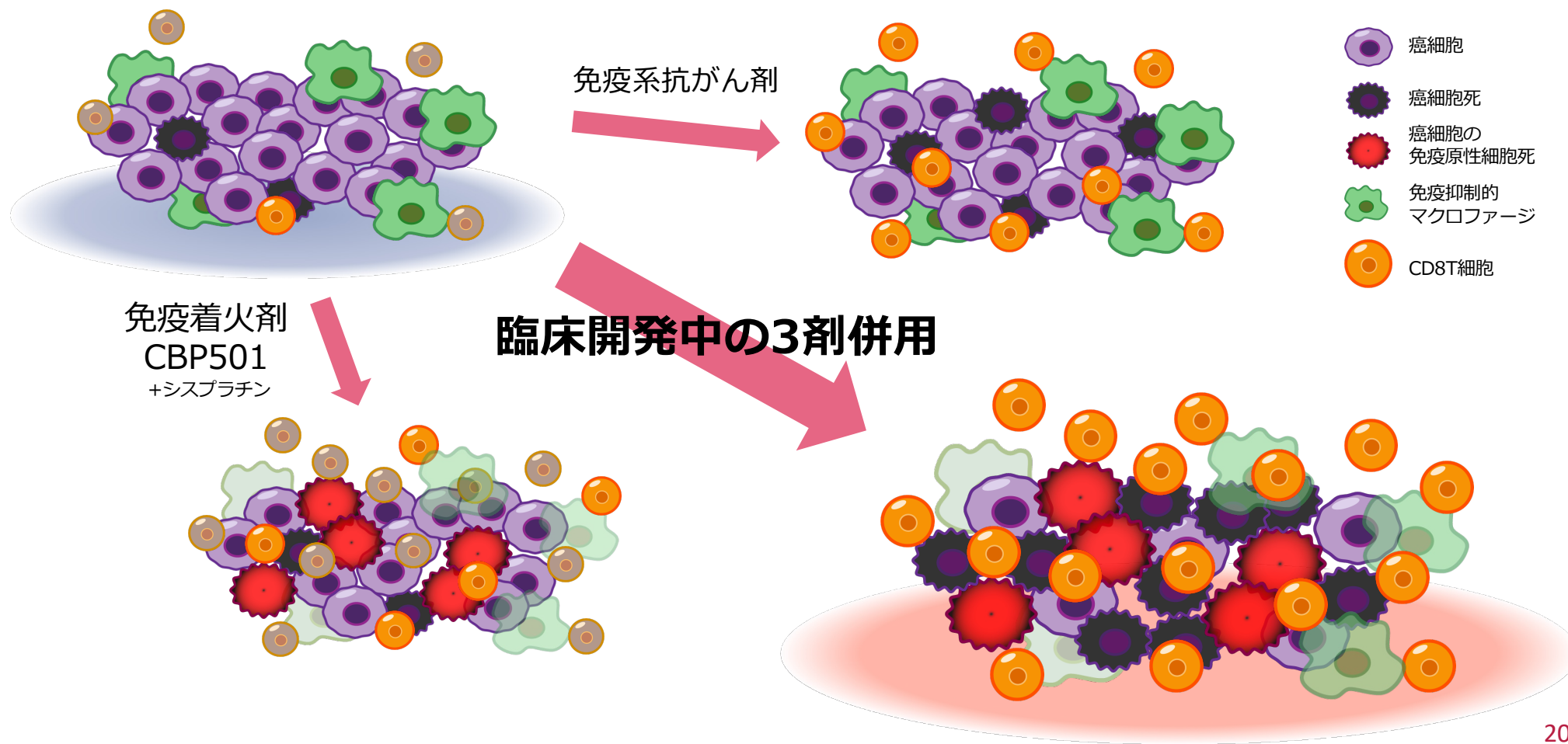


癌細胞



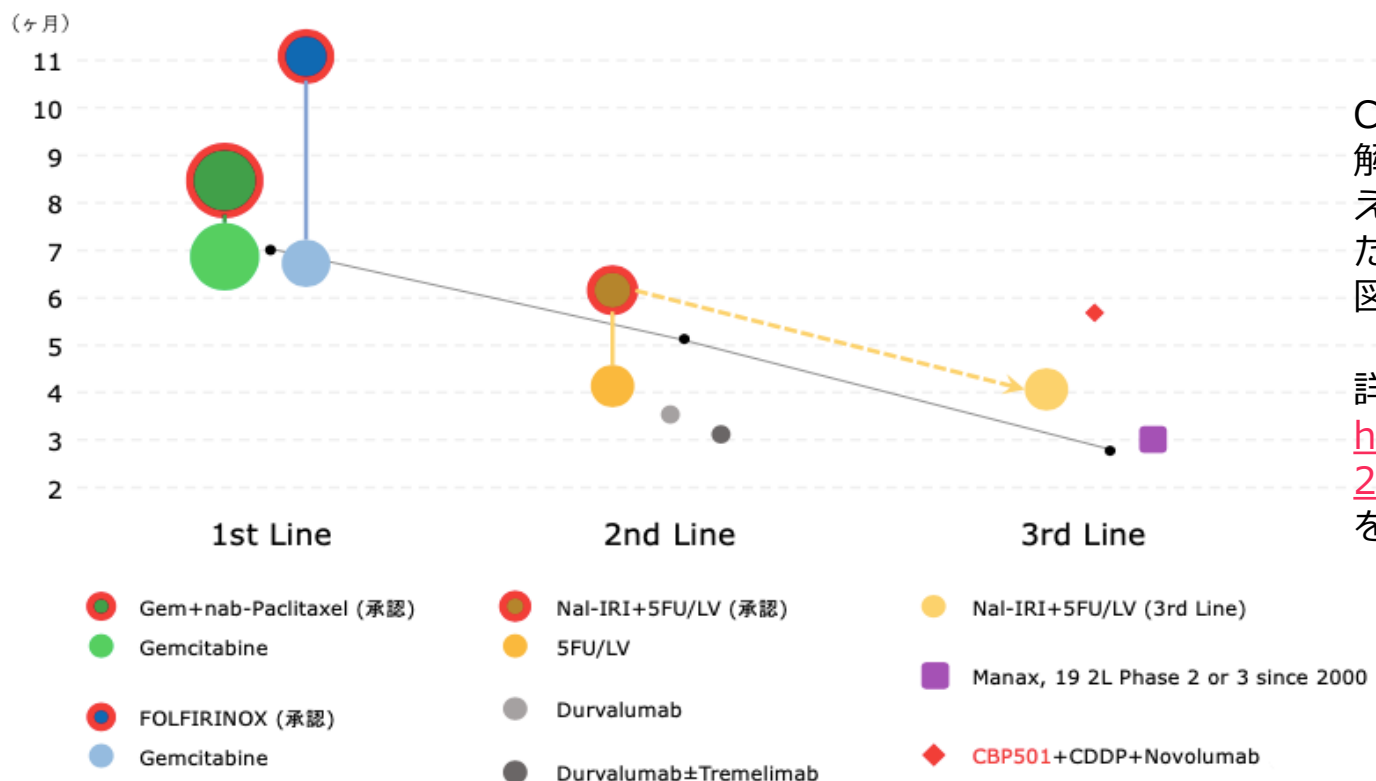
CD8T細胞

# CBP501の3剤併用で免疫系抗がん剤を効きやすくする




# CBPフェーズ1b試験のデータ (膵臓がん)

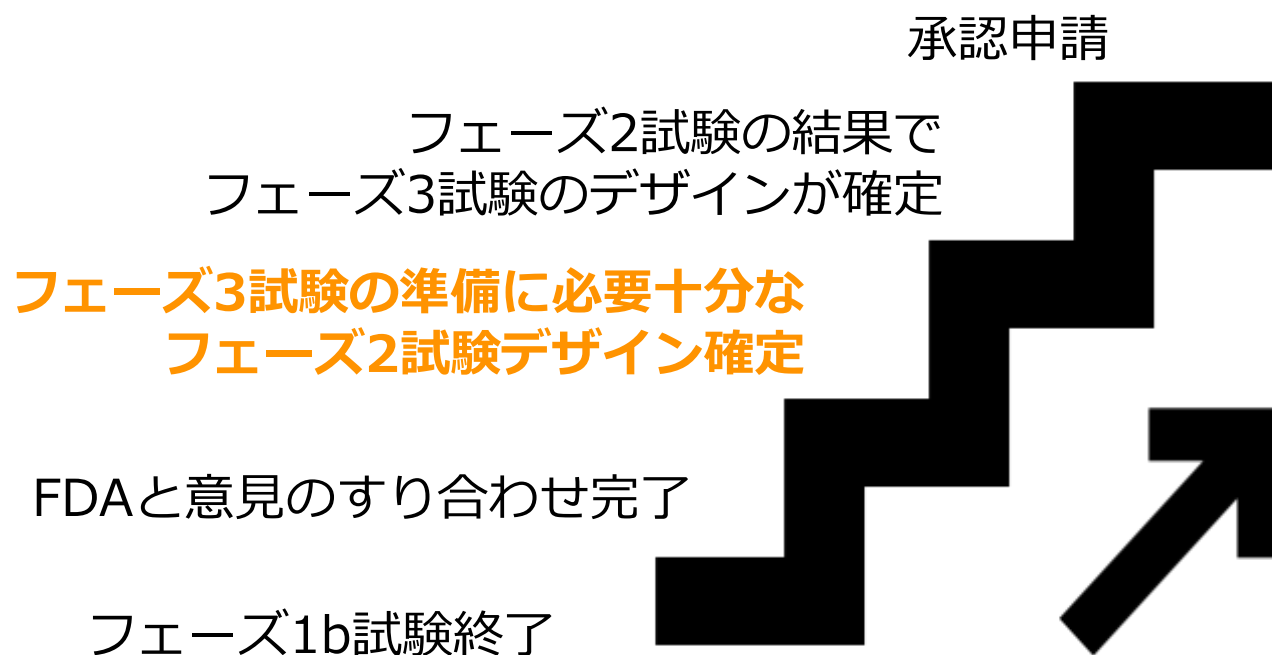
CBP501フェーズ1b試験中間解析 同種の膵臓癌臨床試験結果との比較 (全生存期間)



CBP501フェーズ1b試験の中間解析結果を、比較に適すと考えられる他の臨床試験で示された全生存期間 (OS) との比較で図示したものを。

詳細説明はブログ  
<https://www.canbas.co.jp/20200514/>  
 をご参照ください。

 FDAとのミーティングで意見のすり合わせ→承認への道筋が明確に



### 特徴① 必要十分な4つの投与群設定

- 必要な試験をやり残さない
- 不必要な試験をしない

↑ FDAとの認識擦り合わせの成果

### 特徴② 中間解析を実施する

- 「早期有効中止」「早期無効中止」
- 最短の試験終了を目指す



# CBP501臨床開発プラン (3) 特徴① 4つの投与群 -1

## FDA議論(1) 各薬剤寄与の確認 → 3投与群でOK



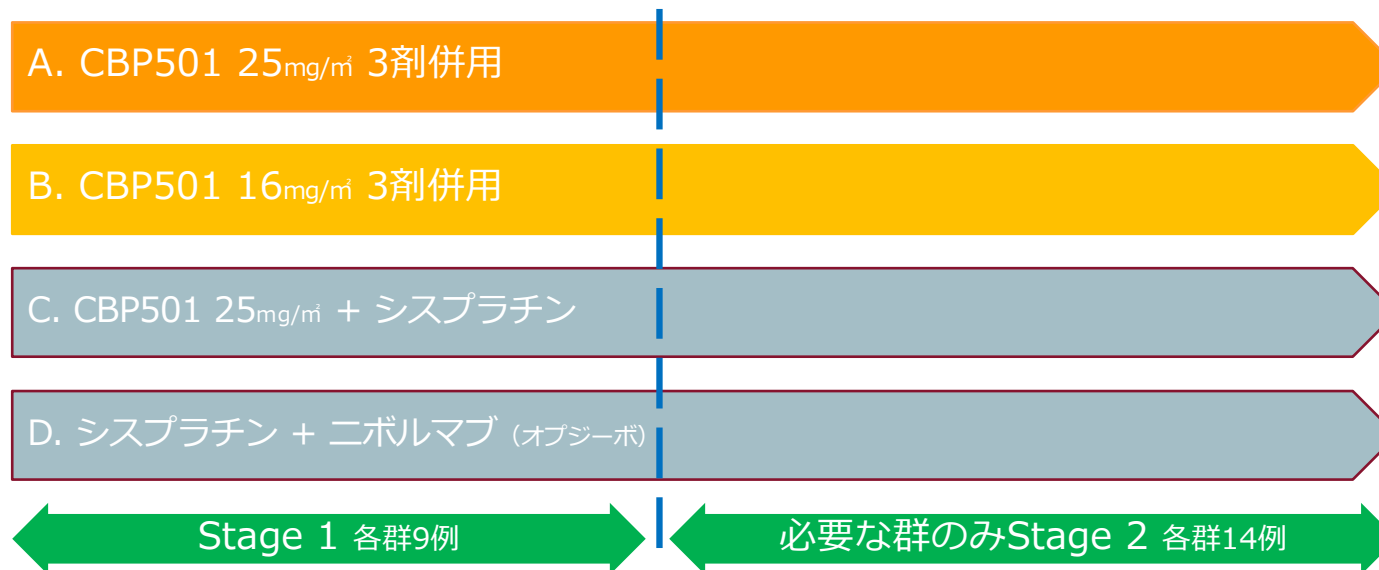
# CBP501臨床開発プラン (4) 特徴① 4つの投与群とは -2

## FDA議論(2) CBP501至適投与量の確認 → 1投与群追加



4投与群による臨床第2相試験で  
臨床第3相試験の検討に必要なデータを獲得できる

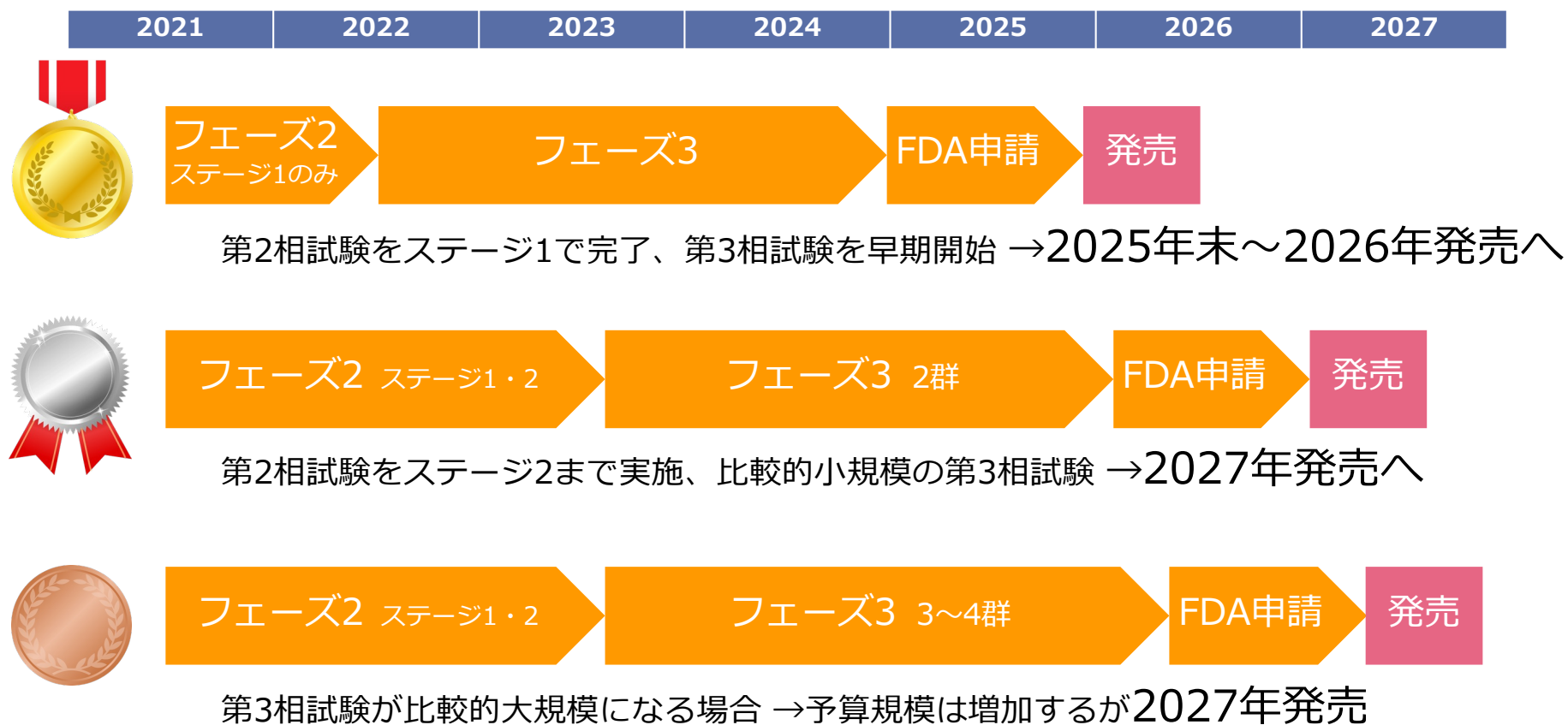
## ■ 中間解析に「早期有効中止」「早期無効中止」を設定



### 利点 (可能性)

- ・ 早く結果が得られる・試験期間を短くできる
- ・ 全体の登録症例数を少なくできる
- ・ 臨床試験費用を抑制できる

## フェーズ2試験以降の時間軸



## 上市可能性と時間軸

### ➤ 段階ごとの成功確率

✓ 第2相試験をクリア (ステージ1での早期クリア・ステージ2でのクリアを含む) 、第3相試験に進む確率

- 想定例(1) : CBP501がフェーズ1b試験と同等の力を発揮したら . . . **98%** \*1
- 想定例(2) : CBP501の発揮する力がフェーズ1b試験の2/3にとどまったら . . . **78%** \*2

✓ 第3相試験の成功確率

- 抗がん剤全般のフェーズ3試験成功確率実績と同等と想定すれば . . . **33.0%** \*3

### ➤ 成功までの時間軸

✓ 最も速く進行した場合 \*4、2025年末～2026年の発売を見込む

✓ 他のシナリオの時間軸は前ページ参照

\*1 過去のフェーズ1b試験結果などから得ているCBP501の3ヶ月無増悪生存率35%をもとに、第2相試験 (ステージ1・2) でそれと同等の力を発揮しCBP501の薬効が否定されず第3相に進むことができる確率を試算。たとえば、A群・B群 (3剤併用群) のいずれかでステージ1で4例以上の3ヶ月無増悪生存が得られれば早期クリア

\*2 \*1と同じ試算を、CBP501の3ヶ月無増悪生存率を25%に落とした想定でおこなったもの

\*3 “Clinical Development Success Rates 2006-2015” Biotechnology Innovation Organization, Amplion, Biomedtracker

\*4 フェーズ2試験がステージ1で完了し、第3相試験を早期開始した場合

## CBP501のパイプライン価値 (2)

### 上市後の市場規模

➤ 当初の市場と想定される米国のみでピーク時900億円の収益を見込めると試算

膵臓癌 3次治療 米国患者数	年間4.7万人以上*1
×	
薬物治療を選択する患者の割合	20%~70%*2
×	
来院しない患者を考慮	80%程度が来院を継続*3
×	
CBP501の獲得するシェア	ピーク時のシェア60%*4
×	
投与期間	4カ月以上*5
×	
ひと月の薬剤費	200万円前後*6 (オニバイドを参考)

\*1 The International Agency for Research on Cancer(IARC), GLOBOCAN2018

\*2 Anticancer Research, 2007; 27(4A):1789-1794  
Oncologist, 2017; 22:925-933  
Cancer Res Clin Oncol, 2019; 145: 445-455  
Cancer Med, 2020; 9:8480-8490

\*3 J Clin Oncol, 2010; 28:2381-2388

\*4 他の抗がん剤のピーク時シェアを参考に自社想定

\*5 Therapeutics and Clinical Risk Management, 2018; 14:1691-1700 およびCBP501のP1b臨床試験結果から自社推計

\*6 膵臓がん3次治療に対する標準薬剤は存在しないため、直近で膵臓がん領域で新薬承認された2次治療の薬剤であるオニバイドを参考薬剤として自社推計に使用。  
厚生労働省中央社会保険医療協議会総会2020年5月13日資料のオニバイドの数値  
「2週間に1回投与・1回あたり薬剤費934360円前後」

# CBP501のパイプライン価値 (3)

## 初期適応疾患（膵臓がん3次治療）の現状

- 膵臓がん2次治療を終えた以降に有効な薬剤はなく、新薬の登場が切望されています

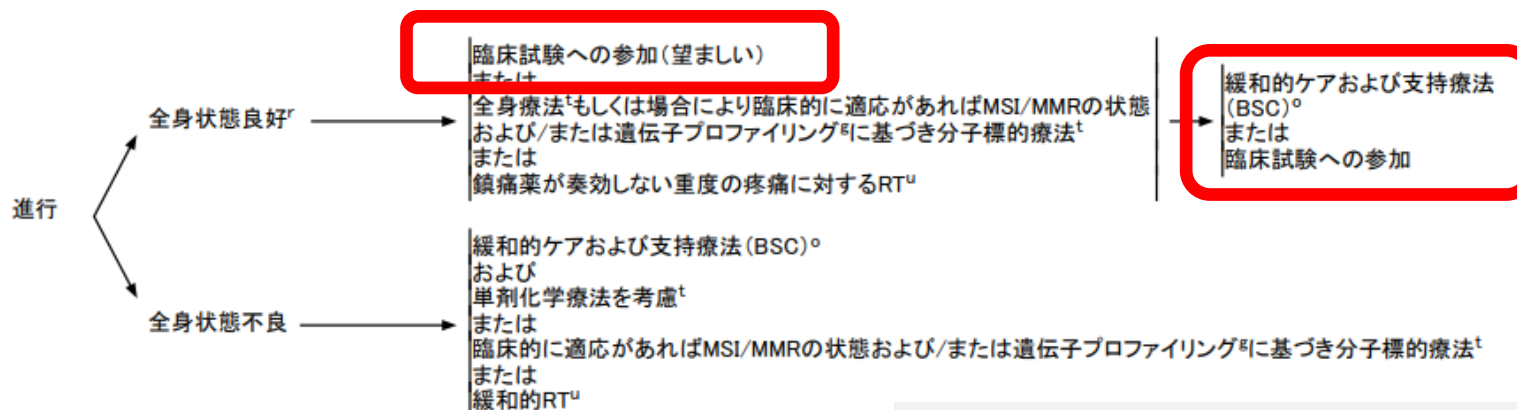


NCCN Guidelines Version 1.2021  
膵癌（腺癌）

ガイドライン索引  
目次  
考察

進行

二次以降の治療<sup>s</sup>

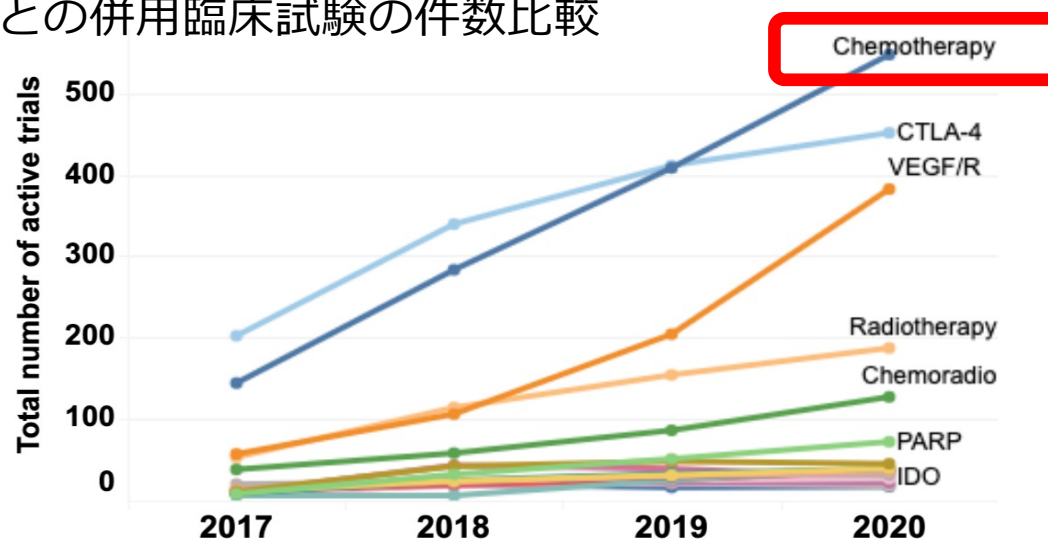


※NCCN腫瘍学臨床診療ガイドライン2021年第1版日本語版 医療イノベーション推進センター  
<https://www2.tri-kobe.org/nccn/guideline/pancreas/japanese/pancreatic.pdf>

## CBP501のパイプライン価値 (4)

### 免疫チェックポイント抗体との併用剤開発競争での位置

➤ PD-1・PD-L1との併用臨床試験の件数比較



※"PD-1/PD-L1 Landscape" Cancer Research Institute  
<https://www.cancerresearch.org/en-us/scientists/immuno-oncology-landscape/pd-1-pd-l1-landscape>

図中のChemotherapy（化学療法）に分類されるCBP501は、免疫チェックポイント抗体併用開発競争のメインストリームにいます



## CBP501のパイプライン価値 (5)

### 膵臓がんを適応とする開発競争での位置

ClinicalTrials ID	会社	開発コード	作用機序	併用	対象	規模	フェーズ	現状
NCT02826486	BioLineRx	BL-8040	CXCR4阻害	PD-L1抗体, Onivyde, 5FU	2次	29	2a	この適応の開発中止
NCT04329949	Corcept	Relacorilant	副腎皮質ホルモン阻害	Nab-paclitaxel	2次	80	3	この適応の開発中止
NCT03797326	Eisai/Merck	E7080/MK7902	マルチキナーゼ阻害	PD-1抗体	2/3次	760	2	探索的試験
NCT03512756	Tyme	SM-88	チロシン類縁体	シロリムスなど	3次	250	2/3	この適応の開発中止
NCT04229004	Tyme	SM-88	チロシン類縁体	シロリムスなど	1/2次	825	2/3	2020年1月開始
NCT02558894	AstraZeneca	MEDI4736	PD-L1抗体	CTLA-4抗体	2次	65	2	全体では失敗
NCT02890355	AbbVie	ABT-888	PARP阻害	5FU, LV, Onivyde		143	2	この適応の開発中止
NCT01959139	Halozyme	PEGPH20	ヒアルロン酸分解	FOLFIRINOX	1次	492	3	失敗 (2019年11月発表)
NCT02923921	EliLilly	AM0010	PEG-IL10	FOLFOX	2次	566	3	失敗 (2019年10月発表)
NCT01373164	EliLilly	LY2157299	TGFβ阻害	Gemcitabine	2/3次	170	1b/2	この適応の開発中止

※ClinicalTrials.gov、報道記事等をもとに当社作成

CBP501は膵臓がん3次治療を適応とする開発競争のトップランナーです

### CBP501の初期適応（膵臓がん3次治療）領域での位置

- 既存先行品は市場に存在しない = 市場がまだない
  
- 開発競争において開発中止が続き（前頁参照）、CBP501はトップランナーの位置にいる
  - ✓ 2021年6月、Tyme Technologies, Inc.  
「開発品TYME-88、膵臓がん3次治療の患者登録を中止」 = 試験中止
  - ✓ 2021年6月、Corcept Therapeutics  
「開発品RELACORILANT、有効性懸念のためこれ以上の研究を正当化できない」  
= 膵臓がん3次治療での開発は中止
  - ✓ E7080/MK7902臨床第2相は膵臓がんに関して未だ探索的試験（効果の有無を探る段階）

### CBP501開発における臨床第2相試験の重要性

- 1年後には、①上市確度上昇 ②適応拡大期待 が明確に出てくる



一般に  
成功確率が  
低いと  
いわれる  
**2相試験の崖**を  
超えようと  
しています

#### この崖を超えれば・・・

- 第3相試験のデザインが確定
- 上市の確度が劇的に向上

#### 適応拡大も視野に

- 膀胱がん3次治療で承認獲得後、  
2次治療など上流への適応拡大
- 大腸がん、卵巣がん、肺がん、  
悪性胸膜中皮腫などへの  
適応拡大

# CBP501 初期適応と上市後の展開

CBP501の長期的な投与対象患者数（適応・地域拡大後）日米欧で年間50万人以上

→ 地域

	米国	欧州	日本	アジア	南米など
膵臓がん 3次治療	4.7万人	3万人以上	3.7万人	11万人 (中国のみ)	
膵臓がん 1次～2次治療	5万人以上	4万人以上	4.3万人	11万人 (同上)	
大腸がん	10万人のうち PD-1不能例など	2万人以上	5万人のうち PD-1不能例など	14万人のうち PD-1不能例など	
肺がん	22万人のうち PD-1不能例など	5万人以上	11万人のうち PD-1不能例など	77万人のうち PD-1不能例など	
悪性胸膜中皮腫 など					

↓  
適  
応  
拡  
大

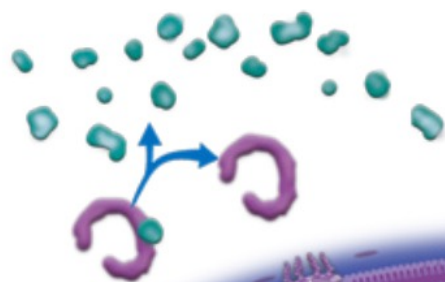
※Tyme社、Globocan2018など

# 可逆的XPO1阻害剂 CBS9106

---

# XPO1阻害による抗がん活性のしくみ

## XPO1による核外排出



核膜孔  
複合体  
(出入口)

XPO1 (exportin 1)

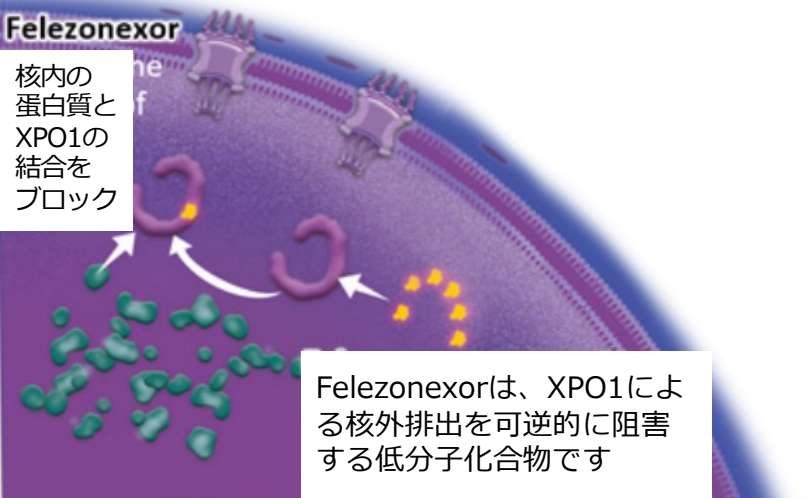
XPO1は、がん抑制因子、細胞周期阻害因子、転写因子など、がん細胞にとって都合の悪いさまざまな蛋白質を核外へ運び出しています

## Felezonexor (CBS9106) によるXPO1阻害

Felezonexorは、がん細胞の細胞周期停止とアポトーシスを誘導することが示されており、固形がんおよび血液がんに対する傷害性を有します

### Felezonexor

核内の  
蛋白質と  
XPO1の  
結合を  
ブロック



Felezonexorは、XPO1による核外排出を可逆的に阻害する低分子化合物です

## 同一領域の医薬品事例とCBS9106の優位性

### 臨床第1相試験を有望なデータとともに終了

- 2020年ESMO発表 (以後新たな情報公表なし)

### 「安全性」「有効性」「使いやすさ」でXPO1阻害剤のベスト・イン・クラスへ

- 上市済みのXPO1阻害剤：XPOVIO(Selinexor) 米国Karyopharm社

適応：びまん性大細胞B細胞性リンパ腫・多発性骨髄腫

- ✓ XPOVIOは副作用が多く、適応も血液癌の一部に限られている

直近の臨床試験 (STORM study、多発性骨髄腫対象)

・・・89%の患者でグレード3以上の重篤な副作用報告、少なくとも2例の死亡報告

- CBS9106の優位性

- ✓ 安全性：最大耐用量の高さ (Stemline社による臨床第1相試験、ESMO2020報告)

・・・背景には、CBS9106のXPO1分解作用\* による副作用の小ささ

- ✓ 有効性：複数の固形がんで薬効の兆候 (Stemline社による臨床第1相試験、ESMO2020報告)

- ✓ 使いやすさ：臨床現場で使いやすい経口剤

\* CBS9106は、XPO1による基質輸送を阻害したあと、XPO1を分解することがわかっており、細胞は新たなXPO1を産生して正常な機能を保とうとするため、副作用の小ささが期待できる。

### CBP501同様に地域の拡大と適応拡大の可能性を追求

#### ➤ 地域の拡がり

- ✓ 提携先Stemline社がMenarini社（イタリア）に買収されたことで特に欧州への拡がりに期待

#### ➤ 適応拡大

- ✓ 現在進められている臨床第1相試験（固形がん全般を対象とする探索試験）で複数の癌種への有効性と高い安全性が示唆されている
  - 大腸がん
  - KRAS変異がん
  - 腎臓がん

※ESMO2020ポスター発表など



## Stemline社とのライセンス契約経過

- 2014年12月 日中台韓を除く全世界を対象にライセンス導出
- 2018年8月 ライセンス対象地域を上記地域を含む全世界へ拡大

## ライセンス契約に基づく収益

- 契約一時金・・・2014年12月 10百万円、2018年8月 5百万円 それぞれ受領済
- 技術アドバイザリーフィー・・・2014年12月～2021年6月 累計702百万円 受領済
- マイルストーン・ロイヤルティ・・・今後の開発進捗によって発生
  - ✓ マイルストーン：ピボタル試験\*投与開始時・承認取得時などに発生。総額86百万米ドル
    - 到達想定時期の近いマイルストーン：ピボタル試験投与開始時2百万米ドル（最大4試験、合計8百万米ドルまで）
  - ✓ ロイヤルティ：上市後の年間売上高に対して3～10%の階層料率を適用

\*薬事承認獲得を目指す臨床試験のこと。一般にはフェーズ3試験を指すが、直近ではフェーズ1後にフェーズ2/3ピボタル試験とするケースも多い

# その他の研究開発

---

### 基礎研究～非臨床試験段階のパイプライン (ピックアップ)

#### ➤ CBT005

- ✓ マウス実験段階だが魅力的な抗腫瘍効果データ獲得
- ✓ 今後、社内の薬効確認試験を経て前臨床試験への進行有無を判断

#### ➤ CBP-A08

- ✓ 最適化を完了し、財務状況等を勘案し前臨床試験開始を模索

#### ➤ IDO/TDO二重阻害剤

- ✓ 静岡県立大学と共同研究で最適化を進行中。COVID-19新規治療薬への用途拡大研究にも着手

#### ➤ NEXTプロジェクト

- ✓ 新たなコンセプトの免疫系抗がん剤候補化合物の探索創出

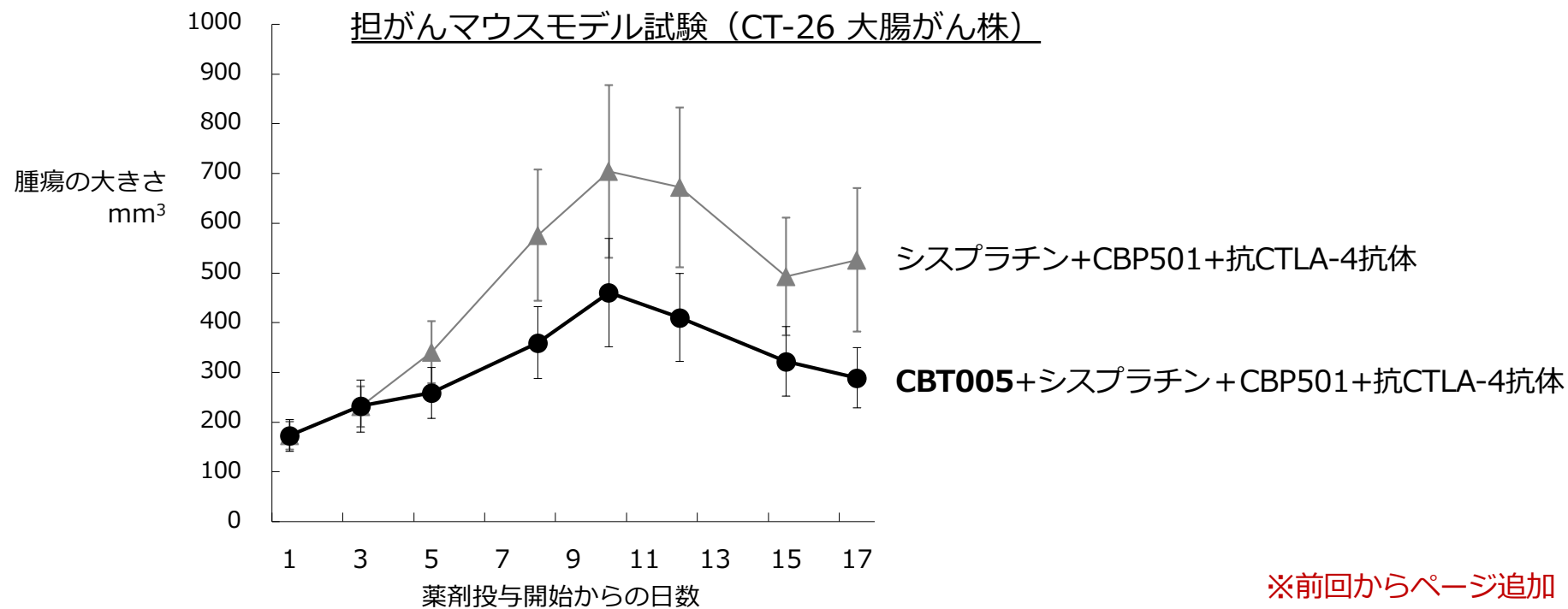
#### ➤ 抗がん剤感受性予測システム

- ✓ 患者様個々の体細胞変異情報を用いて抗がん剤治療の結果を予測

# CBT005：魅力的な基礎データ

## 基礎データ

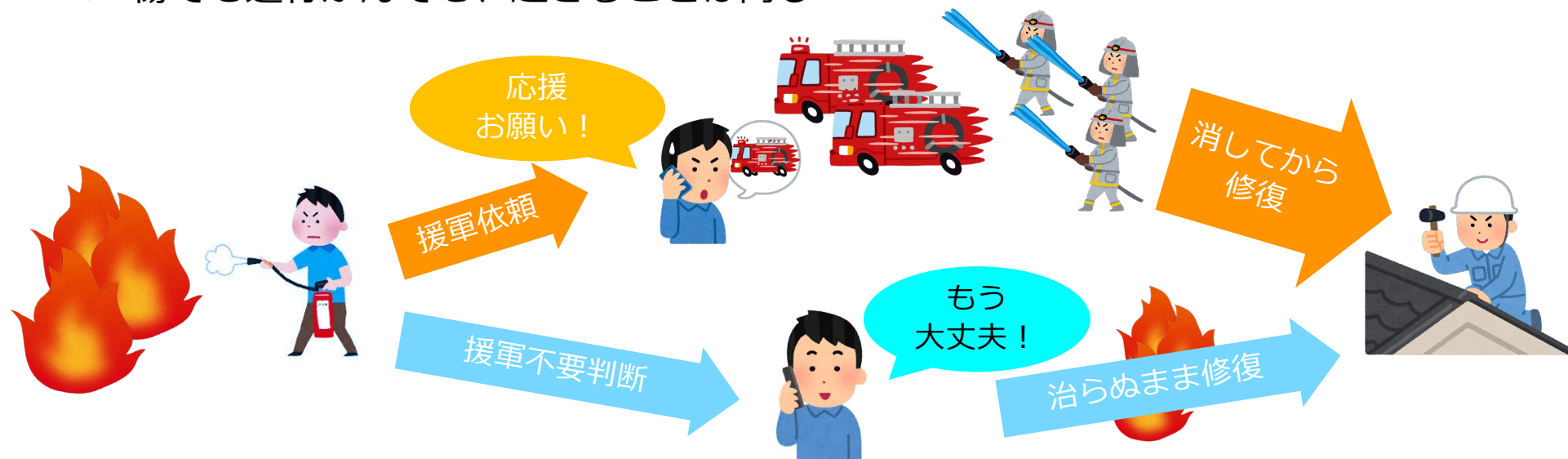
- CBP501 + シスプラチン + 抗CTLA-4抗体に**CBT005**を加えた4剤併用非臨床試験



※前回からページ追加

## コンセプトのご紹介

- がんは古くから“wound never heal”（治らない傷）と呼ばれてきた
- 傷でも進行がんでも、起きることは同じ



- CBT005は消防作業(=炎症)終了指令を消防作業継続拡大指令に変える

# 論文・学会発表

---

## CBP501

### ➤ 臨床1b相試験中間解析結果

**免疫コールドながんを免疫ホットにする「免疫着火剤」であることの証明（ヒトでの証明） = 臨床試験継続価値の根拠**

["Phase Ib clinical study of CBP501, cisplatin, and nivolumab administered every 3 weeks in patients with advanced refractory tumors. Efficacy in dose-escalation and expansion cohorts."](#) - ASCO 2020; Session Developmental Therapeutics - Immunotherapy

### ➤ 白血球異常値以外の癌患者において高い有効性を示すことの証明 = 白血球異常値を排除するプロトコールの根拠

"Observed separation of survival curves by WBC in CBP501-treated patients leads to experimental identification of macrophage functions suppressed by CBP501." - AACR-NCI-EORTC International Conference on Molecular Targets and Cancer Therapeutics 2015

### ➤ 免疫コールドながんを免疫ホットにする「免疫着火剤」であることの証明（動物実験）

"CBP501 induces tumor immunogenic cell death and CD8 T cell infiltration into tumor in combination with platinum, thereby increasing the efficacy of immune checkpoint inhibitors against tumors in mice." - AACR 2016

"CBP501 potentiates the appearance of cisplatin induced indicators of immunogenic cell death and promotes antitumor effects in an immunocompetent mouse model." - AACR-NCI-EORTC International Conference on Molecular Targets and Cancer Therapeutics 2015

### ➤ 作用メカニズム解析

"CBP501 inhibits EGF-dependent cell migration, invasion and epithelial-to-mesenchymal transition of non-small cell lung cancer cells by blocking KRas to Calmodulin binding." - Oncotarget 2017; 8(43):74006-74018

"CBP501 suppresses cell migration, invasion and epithelial-mesenchymal transition (EMT) in non-small cell lung carcinoma." - AACR-NCI-EORTC International Conference on Molecular Targets and Cancer Therapeutics 2015

"CBP501-calmodulin binding contributes to sensitizing tumor cells to cisplatin and bleomycin." - Mol Cancer Ther 2011; 10:1929-1938

"Screening of a library of T7 phage-displayed peptides identifies alphaC helix in 14-3-3 protein as a CBP501-binding site." - Bioorg Med Chem 2011; 19:7049-7056

"Sensitization of cancer cells to DNA damage-induced cell death by specific cell cycle G2 checkpoint abrogation." - Cancer Res 1999; 59:5887-5891

### ➤ 創薬スクリーニング手法

"Cell cycle phenotype-based optimization of G2-abrogating peptides yields CBP501 with a unique mechanism of action at the G2 checkpoint." - Mol Cancer Ther 2007; 6:147-153

## CBS9106

- **臨床第1相試験データ最新アップデート いくつかの固形癌において腫瘍サイズの縮小確認 = 臨床試験継続価値の根拠**  
["Updated Results of A Phase I Study of Felezonexor \(SL-801\), A Novel XPO-1 Reversible Inhibitor, In Patients With Relapsed/Refractory Solid Tumours/"](#) - ESMO 2020, POSTER 564
- **CBS9106が幅広い固形癌や血液癌に有効であることを示唆（基礎研究）**  
"SL-801, a Novel, Reversible Inhibitor of Exportin-1 (XPO1) / Chromosome Region Maintenance-1(CRM1) with Broad and Potent Anti-Cancer Activity." - ASH 2015, POSTER
- **CBS9106とStemline社の別の開発品SL-401との併用効果の示唆**  
"SL-401, a Targeted Therapy Directed to the Interleukin-3 Receptor (CD123), and SL-801, a Reversible Inhibitor of Exportin-1 (XPO1), Display Synergistic Anti-Tumor Activity Against Hematologic Malignancies in Vitro." - ASH 2016, CHEMICAL BIOLOGY AND EXPERIMENTAL THERAPEUTICS: POSTER III 802
- **作用メカニズム**  
"CBS9106-induced CRM1 degradation is mediated by cullin ring ligase activity and the neddylation pathway." - Mol Cancer Ther 2014; 13(12):3013-3023  
"CBS9106 is a novel reversible oral CRM1 inhibitor with CRM1 degrading activity." - Blood 2011; 118(14):3922-3931



# 特許

---

## CBP501

- 抗増殖活性を有し、そして/又は核酸損傷剤を増大するペプチド及びペプチド模倣物あるいは処置  
(国際公開番号 2003/059942 米国・欧州主要国\*・日本で成立済)
  - ✓ 基本的な物質特許。2023年に特許期間が終了するものの、白血球の用途特許によって独占期間を獲得
- ペプチド及びペプチド模倣物の併用投与並びに癌患者の部分母集団に対する治療  
(国際公開番号 2014/207556 米国・欧州主要国\*・日本で成立済)
  - ✓ 用途特許。白血球異常値を排除する禁忌記載による実質的な独占期間延長の根拠
- ペプチド及びペプチド模倣物並びにT細胞活性化及び/又は免疫チェックポイント阻害剤の併用による癌治療  
(国際公開番号 2017/069291 米国で成立済)
  - ✓ 免疫チェックポイント阻害抗体との併用に関する用途特許

## CBS9106

- DNA傷害を増強することによる抗癌活性をもつ化合物  
(国際公開番号 2009/031040 米国・欧州主要国\*・日本で成立済)
  - ✓ 基本的な物質特許

\* 欧州主要国とは、欧州特許庁加盟国のうち当社の特許戦略上有意義と判断し得る国を指します。  
具体的には、ドイツ、スイス、英国、フランス、ベルギー、イタリアなど。

# 事業のリスクと対応策

---

※ 顕在化の可能性が比較的高いリスク、顕在化した場合に成長可能性への影響の大きいリスクを  
有価証券報告書「事業等のリスク」から抜粋して掲載しています。  
その他のリスクについては、有価証券報告書「事業等のリスク」をご参照ください。

### 創薬事業全般のリスク

- 医薬品開発の不確実性
  - ✓ 多額の費用、期間、成功確率
  - ✓ 複数の開発パイプラインそれぞれのバックアップを保有するなど分散対応
- 将来収益の不確実性
  - ✓ 承認獲得の成功有無、さらに承認獲得したとしても十分な収益の得られない可能性
  - ✓ 既承認薬剤の市場規模や実績をもとに採算見込を判断
- 将来の法的規制・医療保険制度等の不確実性
- 潜在的な競合

### 当社事業遂行上のリスク

#### ➤ 提携パートナーの確保

- ✓ CBP501：提携獲得活動継続。なお、提携が必ずしもその後の事業に十分な資金の確保をもたらすと限らない点に留意し、必要に応じ新株発行等による調達資金を用いて開発推進
- ✓ CBS9106：ステムライン社との緊密な連携継続

#### ➤ 臨床試験データ

- ✓ 今後の臨床試験において有効性が確認されず、または安全上の重要な懸念が生じるおそれ
- ✓ 現時点ではCBP501・CBS9106ともに有望な有効性・安全性が示されていると判断

#### ➤ 開発パイプラインの継続的拡充

- ✓ CBP-A (CBP-A08)、NEXT (CBT005)、CBP-Bなど
- ✓ 継続的な新薬候補創出が中長期的な企業価値の源泉であり、試行錯誤を継続

#### ➤ 知的財産権

### 当社事業遂行上のリスク (続き)

#### ➤ 財務状況

- ✓ 創業後現在までの収益は委託研究の対価及び提携に基づく収益のみであり、当社が開発した医薬品の売上による事業収益は未計上。先行開発投資期間であり、営業損失・経常損失を計上し、営業キャッシュ・フローのマイナスを財務キャッシュフローで補う財務状態が継続
- ✓ 当社事業の継続に懸念が生じる可能性があり、必要なタイミングでの資金確保に注力

#### ➤ 潜在株式の顕在化 (行使・転換) による当社株式数の増加

- ✓ 役職員向けストック・オプション、資金調達目的の転換社債・新株予約権

#### ➤ 継続企業の前提に関する重要事象等

- ✓ 営業キャッシュ・フローの継続的マイナス
- ✓ 各化合物にかかる戦略提携を最重要課題とし、収益の獲得に努める。その可能性と内容の最大化のためにも開発推進に注力

# 2022年6月期 決算・財務の状況

---

※この項は前回から全面改訂

## 2022年6月期の業績 (1)損益計算書

### 2022年6月期損益計算書のポイント

#### ➤CBP501臨床開発で先行投資赤字を計上

- ✓ 2022年6月期事業費用607百万円の内訳：基礎研究費\*1 154百万円・臨床開発費\*2 453百万円・販管費238百万円  
基礎研究費・販管費には年ごとに大きな変動はなく、臨床開発費が主な増減要因
- ✓ 臨床試験が想定よりも順調に進捗したことから臨床開発費が前期より193百万円増加  
2023年6月期に見込んでいた費用の前倒しであり、健全な費用増

#### ➤事業収益計上に至らず

	2022年6月期	前期比	%
事業収益 (売上高)	一 百万円	△108 百万円	△100 %
営業利益	△846 百万円	△190 百万円	
経常利益	△854 百万円	△299 百万円	
当期純利益	△855 百万円	△324 百万円	

\*1 共通の人員・設備・消耗品等が多数あるため、基礎研究段階のプロジェクト個別の費用内訳は算出していません。

\*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106に関する費用はありません。



### CBS9106ライセンス契約に基づく収益

- 2014年12月締結・2018年8月拡大により、過去に**累計717百万円**を受領
  - ✓ 契約一時金：2014年12月・2018年8月にそれぞれ受領
  - ✓ 技術アドバイザリーフィー：一定期間受取る契約（2021年6月まで）
  
- 技術アドバイザリーフィーの期間は**2021年6月で終了**
  
- **今後もマイルストーンペイメント・ロイヤルティ等の条項は変更なし**
  - ✓ 臨床開発の進捗に伴う収益
  - ✓ 収益の性質上、具体的な時期・金額の見通しは現時点で困難

### 新規提携等による事業収益獲得に向けた取り組み

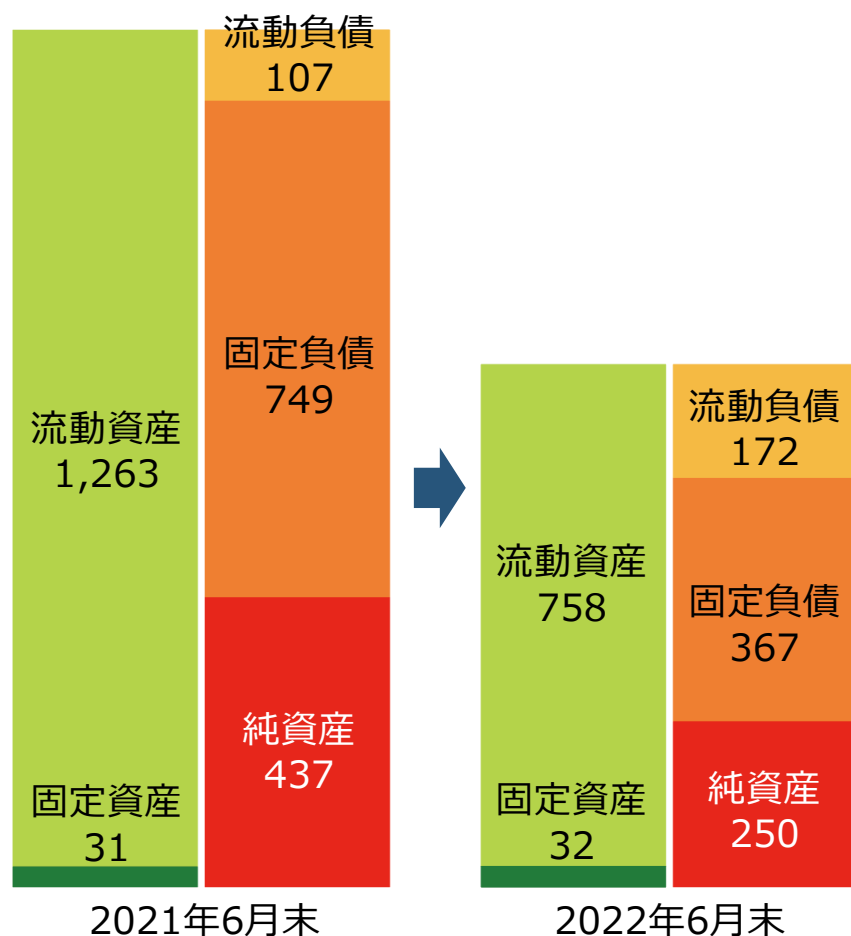
#### ➤ CBP501

- ✓ 国内外製薬企業等との交渉折衝を重ねたものの、提携獲得には至らず
- ✓ 注目を集める領域以外での提携に製薬企業等が消極的な傾向がさらに強まり、この傾向（& 臨床試験の構造変化など）を踏まえ自社開発に舵を切る創薬企業が続出
- ✓ 一方で後期開発終盤の提携市場は依然として活発

#### ➤ その他のプロジェクト

- ✓ 前臨床試験直前のもの：早期アライアンスによる収益獲得を図る
- ✓ 基礎研究段階のもの：リード化合物獲得へ

## 2022年6月期の業績 (4)貸借対照表の推移 (単位：百万円)



### 2021年6月期末からの主な変化

#### ➤ 流動資産

- ✓ 現預金 1,154 → 737
  - (-) 営業CFマイナス、CB一部買入消却
  - (+) 新株予約権行使による資金調達
- ✓ 前渡金 71 → 0
  - 臨床第2相試験進捗に伴い支払いに振替

#### ➤ 流動負債

- ✓ 未払金 85 → 138
  - 臨床第2相試験進捗に伴う増加

#### ➤ 固定負債

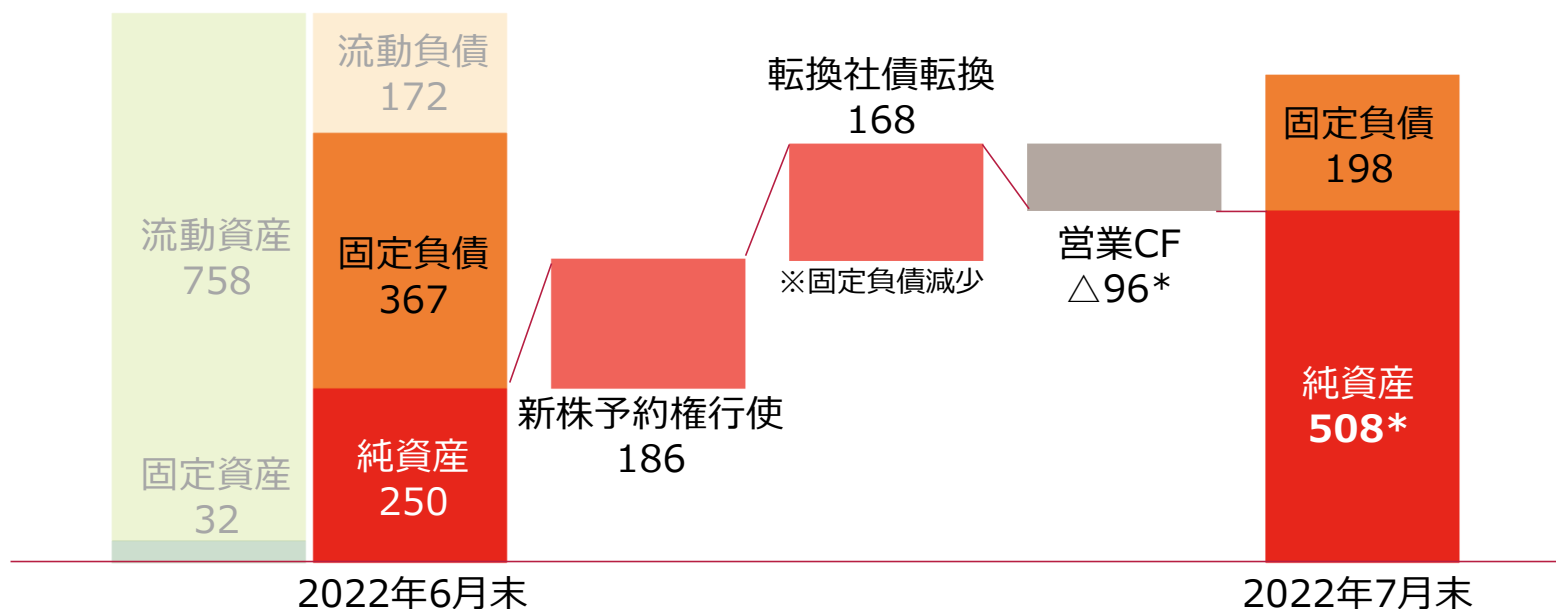
- ✓ 転換社債 749 → 367
  - リファイナンス後に一部買入消却し減少

#### ➤ 純資産

- ✓ 第13回・第17回新株予約権行使による資金調達

# 新株予約権行使・転換社債転換による財務健全性向上

2022年7月 1ヶ月間の純資産・固定負債の推移 (単位: 百万円)

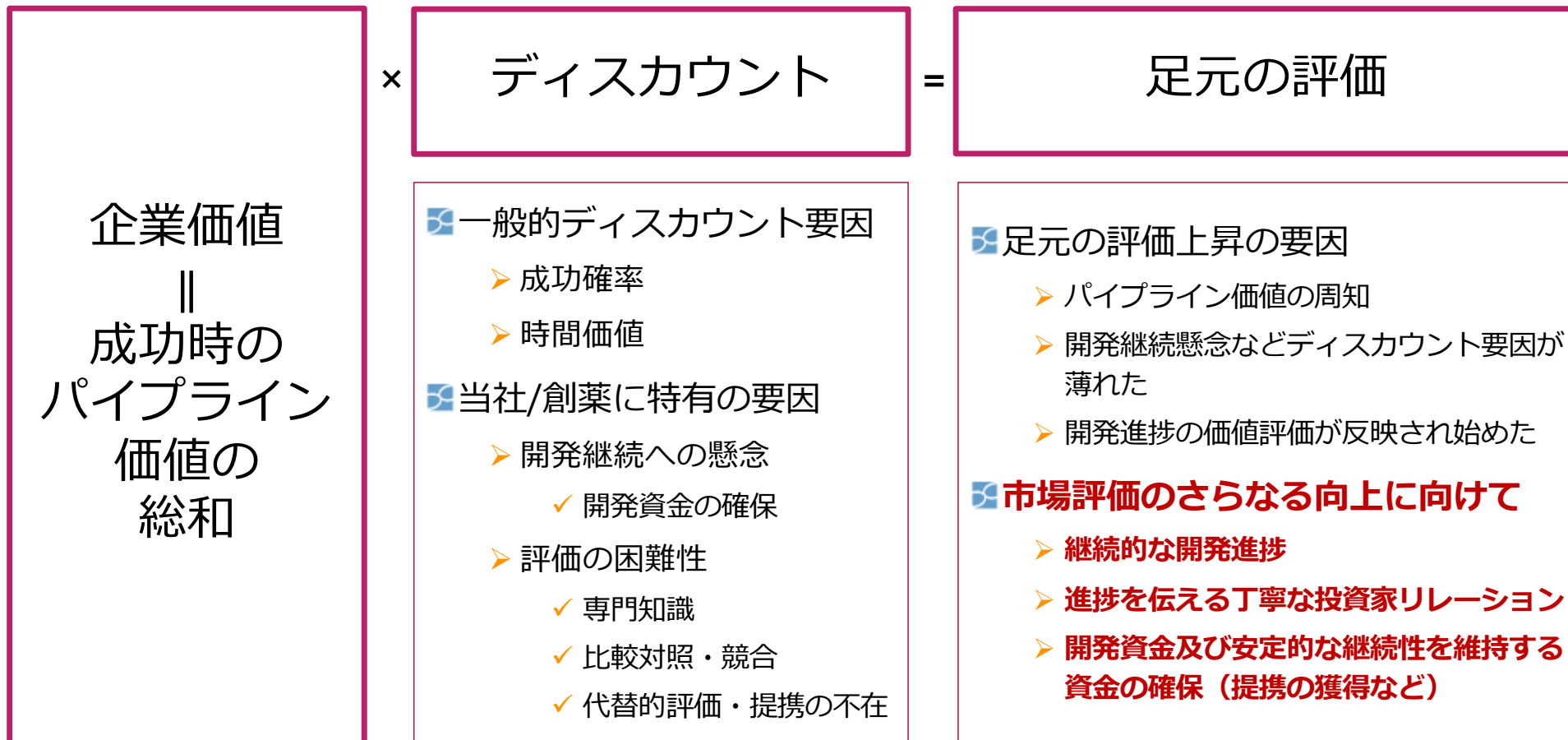


現在、第17回新株予約権の行使と第4回転換社債の転換が並行して進んでおり、営業CFマイナスながらも当社の財務健全性は継続的に向上しています

\*2022年7月の営業キャッシュフローは、本資料提出時点までの集計と推定による未確定・未監査の数値です。したがって2022年7月末の純資産も本資料提出時点の暫定値です。

# 企業価値評価向上への施策

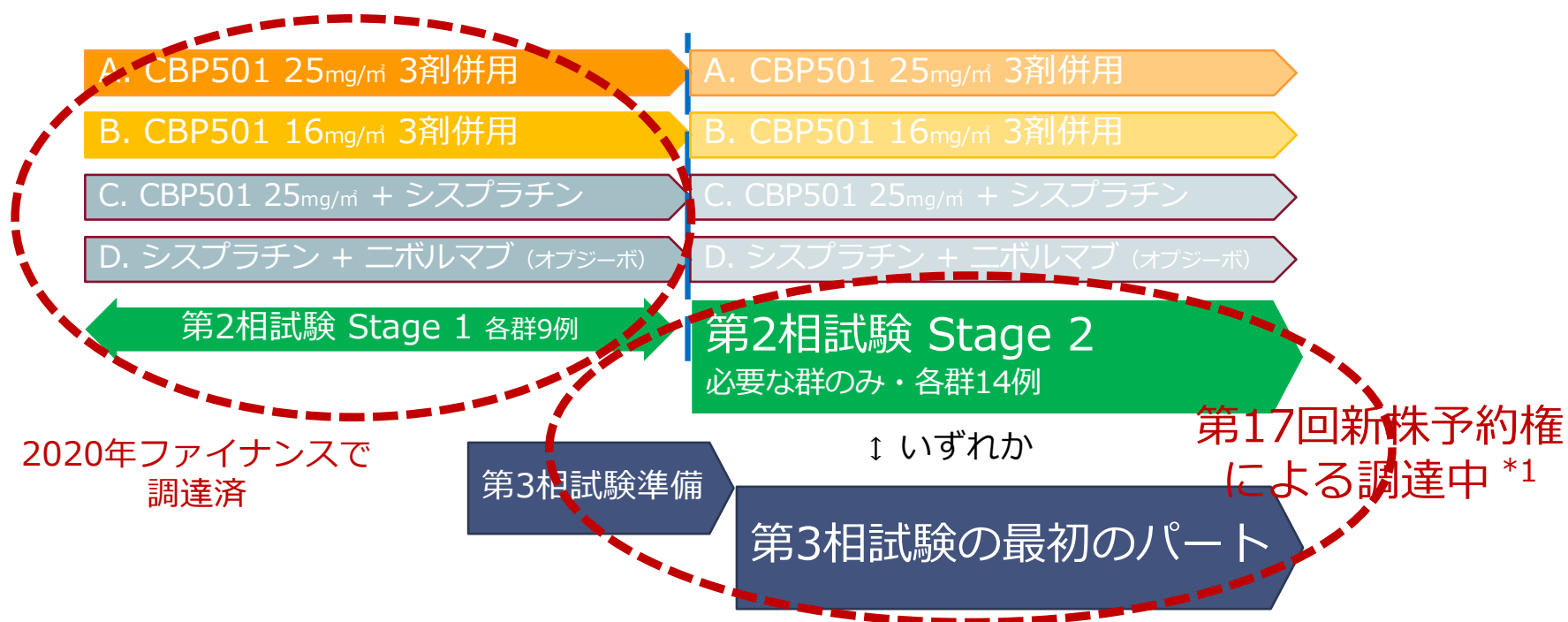
---



## 中期的な開発資金調達

第17回新株予約権（2021年9月発行）により次の開発段階の資金確保へ

- 発行・行使による調達総額見込み（当初行使価額ベース） 約2,000百万円



\*1 資金使途詳細については、2021年9月2日公表資料「第三者割当による行使価額修正条項付第17回新株予約権及び第4回無担保転換社債型新株予約権付社債（リファイナンス）の発行に関するお知らせ」をご参照ください。

# 調達資金の充当状況

(金額の単位：百万円)

調達手段	調達金額	公表済み資金使途	当初予定支出時期	当初予定支出金額	支出実績時期	支出実績金額	今後の支出予定時期	支出予定金額
第16回新株予約権	745	① CBP501臨床第2相ステージ1費用	2021年4月～2023年3月	650	2021年4月～2022年6月	175	2022年7月～ <b>2023年6月</b>	475
		② 運転資金*1 (1)	2021年6月～2021年7月	85	同左	85	—	—
		③ 運転資金(2)	2021年9月	10	同左	10	—	—
第4回転換社債	749	① 第3回転換社債借換	2021年9月	749	同左	749	—	—
第17回新株予約権	2,007	② 臨床第3相試験準備費用	2022年4月～2022年12月	160	未支出	—	2022年9月～2022年12月	160
		③ 運転資金	2021年12月～2023年6月	647	2021年12月～2022年6月	205*3	2022年7月～2023年6月	442
		④ CBP501臨床第3相パート1費用 または 臨床第2相ステージ2費用*2	2022年10月～2024年3月	1,200	未支出	—	<b>2022年9月～2024年3月</b>	<b>817*4</b>
			2022年6月～2023年3月		未支出	—		
		【公表資金使途予定外】 第4回転換社債一部買入消却	—	—	<b>2022年1月</b>	<b>383</b>	—	—

\*1 運転資金とは、販売費及び一般管理費・基礎研究費の合計を指します。

\*2 現在進行中の臨床第2相試験ステージ1の結果次第で、臨床第3相試験または臨床第2相試験ステージ2費用のいずれかに充当されます。

\*3 当該期間中の運転資金支出額は243百万円で、そのうち205百万円を第17回新株予約権による調達額から充当しました。

\*4 第4回転換社債一部買入消却で383百万円が支出されたため、今般、支出予定金額を変更するものです。

今後の行使（2023年3月頃までの見込みです）により今後調達される金額は未確定であり、これが変化した場合は、この\*4の金額を再度変更する予定です。

\* 第17回新株予約権の行使により2022年6月までに調達された金額は588百万円です。



# キャンバスを知る情報源

---

- ウェブサイト <https://www.canbas.co.jp>
  - マネジメントブログ <https://www.canbas.co.jp/blog/>
- Twitter公式アカウント <https://twitter.com/canbas4575>
- アナリストレポート
  - ▶ フェアリサーチ 2022年2月8日最新版『夏場には朗報の可能性も』  
<https://column.ifis.co.jp/company/143379>
  - ▶ シェアードリサーチ (随時更新)  
<https://sharedresearch.jp/ja/4575>
- TV等出演
  - ▶ 日経CNBC『攻めのIR Market Breakthrough』  
<https://www.youtube.com/watch?v=tZbSEhhyutI>
  - ▶ 櫻井英明WEB 企業IRセミナー 2022年5月28日配信  
<https://youtu.be/X2-SIbeNxzQ?t=9418>

# 免責事項・今後の開示

---

### 免責事項

- 当資料に記載された内容は、現時点において一般的に認識されている経済・社会等の情勢並びに当社が合理的と判断した経営計画に基づき作成しています。
- しかしながらこれらの内容は、経営環境の変化等の事由により、予告なく変更される可能性があります。
- また、今後の当社の経営成績及び財政状態につきましては、市場の動向等により、大きく変動する可能性があります。

### 今後の開示

- 当資料は今後、通期決算の発表時期（8月）を目途として、更新のうえ開示を実施します。
- 上記に関わらず、本資料の内容に重要な変更が生じた場合には、第2四半期決算の発表時期（2月）の更新・開示を実施するほか、随時更新のうえ開示を実施します。



■本資料に関するお問い合わせ先： 株式会社キャンバス 管理部 IR担当 Email [IR@canbas.co.jp](mailto:IR@canbas.co.jp)