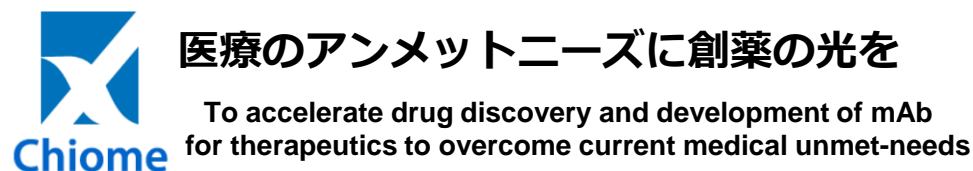




証券コード：4583

# 2023年12月期第2四半期 決算補足資料

2023年8月9日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



**1. 2023年12月期第2四半期 業績**

**2. 2023年12月期第2四半期 事業進捗**

**(参考)**

**事業概要**

**パイプライン紹介**



# 2023年12月期第2四半期 業績

# 損益計算書



(百万円)	2022年12月期 2Q	2023年12月期 2Q	増減	増減の主な理由等
売上高	278	358	80	
(創薬事業)	-	-	-	
(創薬支援事業)	278	358	80	
売上原価・販管費	1,057	1,018	△39	
(研究開発費)	690	601	△89	2022年12月期はCBA-1535のCMC関連費用を計上
(その他)	366	416	49	創薬支援事業の取引拡大に伴う売上原価
営業損失 (△)	△779	△659	119	
経常損失 (△)	△768	△662	106	
当期純損失 (△)	△771	△663	107	

# 貸借対照表



(百万円)	2022年12月期末	2023年12月期 2Q末
流動資産	2,092	1,566
(現預金)	1,727	1,245
(その他)	364	321
固定資産	123	118
資産合計	2,215	1,685
流動負債	370	486
固定負債	54	54
負債合計	424	540
純資産合計	1,790	1,144
負債・純資産合計	2,215	1,685

# キャッシュフロー計算書



	2022年12月期2Q	2023年12月期2Q
営業活動によるキャッシュ・フロー	△660	△595
投資活動によるキャッシュ・フロー	－	0
財務活動によるキャッシュ・フロー	341	113
現金および現金同等物の増減額	△319	△481
現金および現金同等物の期首残高	1,790	1,727
現金および現金同等物の期末残高	1,471	1,245

※ 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：臨床開発を中心とした研究開発費や販管費等の支出



# 2023年12月期第2四半期 事業進捗



**CBA-1205の臨床第1相試験後半パートで登録された  
肝細胞がん患者さん1例においてPR（部分奏功）を確認**

**CBA-1205の臨床第1相試験前半パートで登録されたメラノーマの患者さん  
において腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価※が続き24ヶ月以上の継続投与を確認**

※最終結果の解析未了、途中経過

**CBA-1205の治験薬の追加製造と開発計画の修正**

**ADCT-701の米国での臨床第1相試験は2023年に開始予定  
ADCT社の財務状況を鑑み、開発主体はNCIに**

**創薬支援事業において国内製薬会社、および国内診断薬企業と  
新たに委受託包括契約を締結**





## 創薬事業 - 自社パイプライン

<b>CBA-1205</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 臨床第1相試験後半パートで登録された肝細胞がん患者さん1例においてPR（部分奏功：30%以上の腫瘍縮小）を確認。</li><li>✓ 臨床第1相試験前半パートで登録されたメラノーマ（悪性度の高い皮膚がんの一種）の患者さんで腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価が続き24ヶ月を超える長期継続投与例を確認。現在も投与継続中。</li><li>✓ 前半パートでの本剤の忍容性の高さや複数の長期投与症例を受け、後半パートを確実に遂行するための追加の原薬・治験薬の製造に着手。合わせて本剤の治療薬としてのポテンシャルを検証するため、PR症例と本剤投与の科学的な関連性を解析することを目的とし治験登録患者さんの選定基準厳格化および治験期間の延長を決定。（導出スケジュールに変更なし）。</li></ul>
<b>CBA-1535</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 段階的に用量を上げながら、安全性と初期の有効性を確認中。</li><li>✓ 前半パートでの薬効シグナル確認後、後半パート開始（2024年を予定）とする計画へ変更。</li></ul>
<b>PCDC</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ ADC技術を保有する企業をメインターゲットとして導出活動を推進。</li></ul>
<b>新規テーマ</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ PFKRの導出活動に向けたデータパッケージの構築を進める。</li></ul>

## 創薬事業 - 導出品

<b>導出品 ADCT-701</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 2023年に本剤の臨床第1相試験を開始予定。</li><li>✓ ADCT社の財務状況を鑑み、第1相臨床試験の開発主体はNCIが担う。</li></ul>
---------------------	---

## 創薬支援事業

<b>製薬企業との取引</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>✓ 2023年12月期の業績予想（売上高）は640百万円。</li><li>✓ 国内製薬会社および国内診断薬企業と新たに委受託包括契約を締結。</li></ul>
-----------------	---

# 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	臨床第1相試験	導出先
ADCT-701 (LIV-1205 ADC)	DLK-1	がん (ADC)				2017.9~ 

## 自社開発品

★ ファーストインクラス  
★★ 世界初の創薬モダリティでの臨床入り

開発コード	標的分子	疾患領域	創薬研究	前臨床試験	臨床第1相試験	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				第1相試験中

## 導出候補品及び創薬プロジェクト

開発コード	標的分子	疾患領域	創薬研究	前臨床試験	臨床第1相試験	ステータス
★ PCDC	CDCP1	がん (ADC)				導出活動中
PTRY	5T4×CD3 ×PD-L1	がん				臨床入りに向けて データ取得中
BMAA	SEMA3A	非開示				導出活動中
LIV-2008 /2008b	TROP-2	がん				導出活動中
New PFKR	CX3CR1	自己免疫性 神経疾患等				今秋から導出活動開始
創薬PJ/探索研究	非開示	がん/眼科 etc				—



## 肝細胞がん患者さんにおいてPR症例の確認と 導出時の価値向上に向けた開発計画の変更



### 試験 デザイン

#### 前半パート

- 対象：固形がん患者さん
- ・低用量から段階的に投与
  - ・安全に投与できる最大量を求める
  - ・当初計画より高用量での投与群の追加
  - ・高い安全性を確認
  - ・前半パートで登録されたメラノーマの患者さんにおいて腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価※が続き24ヶ月以上の継続投与を確認、現在も投与継続中。

#### 後半パート

- 対象：肝細胞がんの患者さん
- ・前半パートでの最大量を参考に、肝細胞がん患者さんの臨床試験における最適な投与量を確認する（至適用量を求める）。
  - ・安全性と初期の薬効シグナルを評価
  - ・後半パートで登録された肝細胞がん患者さん1例においてPR（部分奏功：30%以上の腫瘍縮小）を確認。
  - ・長期投与症例に対応すべく治験薬の追加製造に着手。また、本剤の治療薬としてのポテンシャルを検証するため、PR症例と本剤投与の科学的な関連性を解析することを目的とし、治験登録患者さんの選定基準厳格化および治験期間の延長を決定。（導出見込みスケジュールに変更なし）

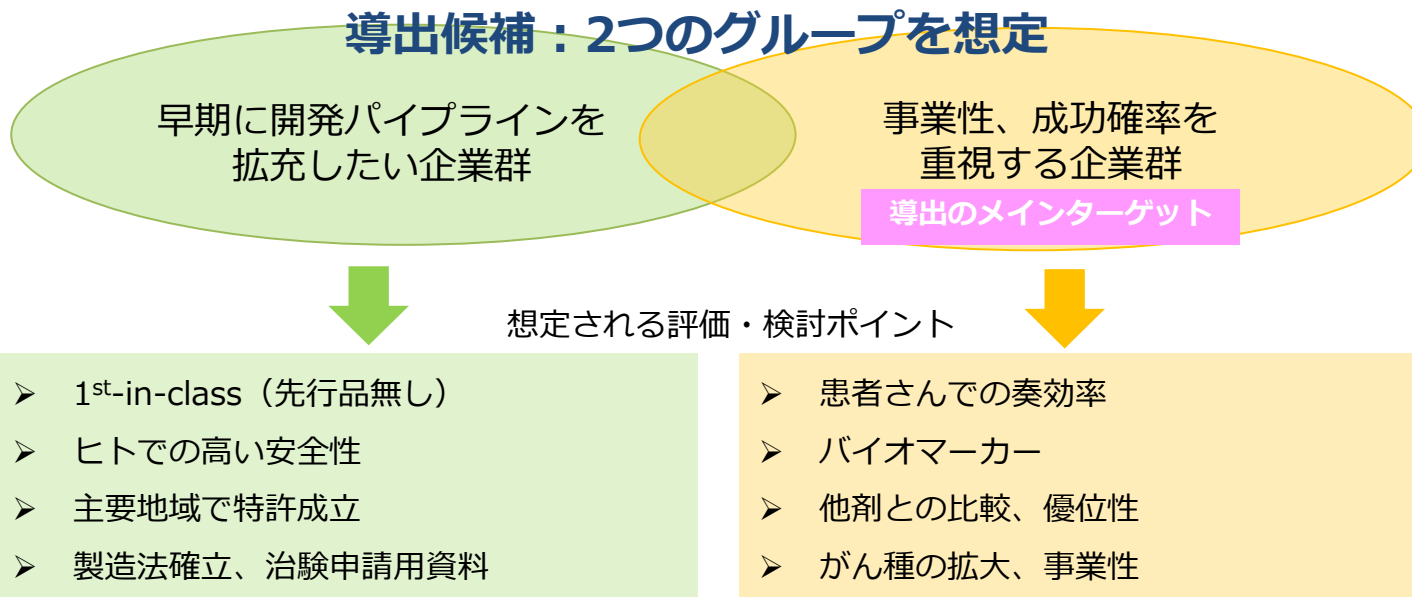
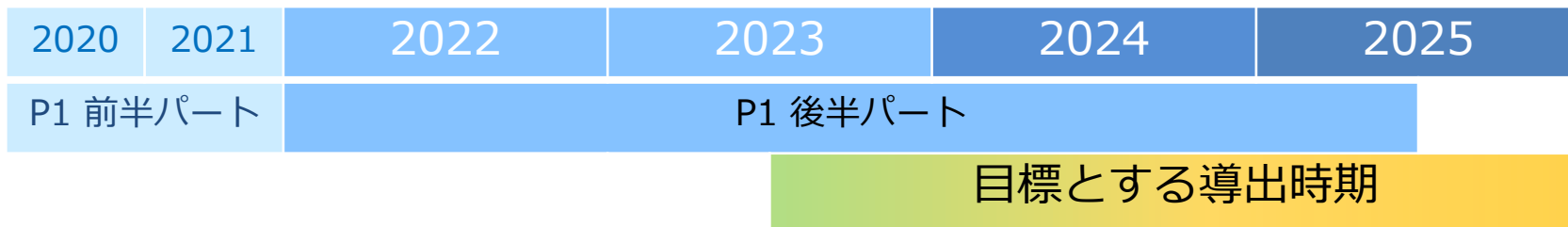


グレード3以上の重篤な毒性所見は見られず、高い安全性を確認

## CBA-1205投与に関連する有害事象

有害事象	投与量 (mg/kg)							合計 (n=22)
	0.1 (n=3)	0.3 (n=3)	1 (n=3)	3 (n=4)	10 (n=3)	20 (n=3)	30 (n=3)	
CBA-1205に関連する有害事象が発生した患者数	1	0	2	3	1	2	3	12
Grade 1-2	1	0	2	3	1	2	3	12
<b>≥ Grade 3</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>	<b>0</b>
用量制限毒性	0	0	0	0	0	0	0	0
重篤な有害事象	0	0	0	0	0	0	0	0
死亡例	0	0	0	0	0	0	0	0
投与中止例	0	0	0	0	0	0	0	0

各用量において、グレード1（軽症）またはグレード2（中等症）の有害事象報告があったが、グレード3（重症または医学的に重大であるがただちに生命を脅かすものではない）以上の重篤な毒性所見は見られず。また、長期投与症例においても投与継続を妨げるような副作用が生じておらず、CBA-1205の高い安全性を確認。



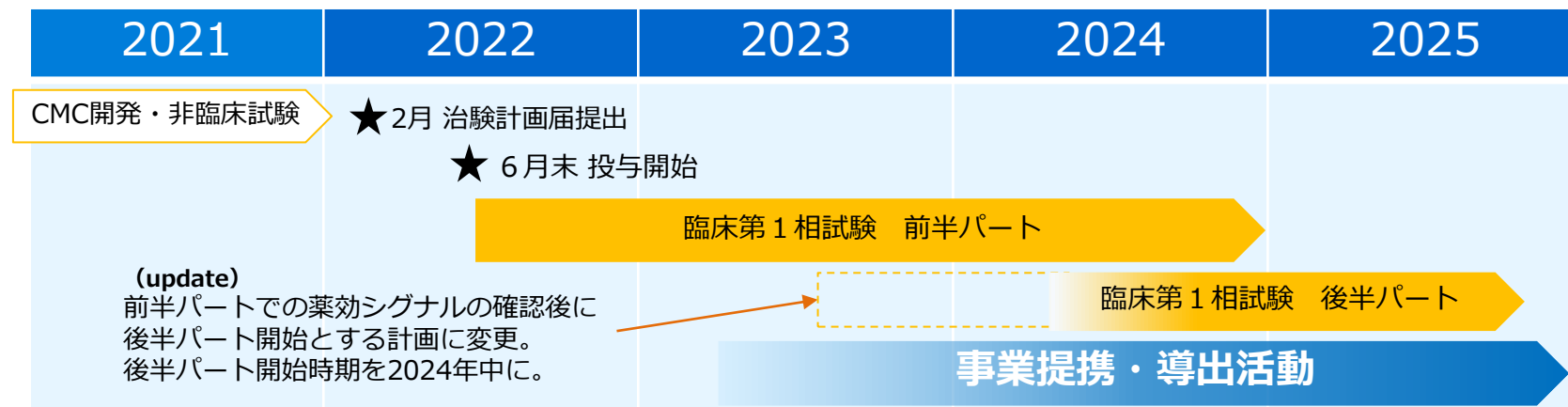
**導出一時金 ≤ 導出一時金**



**P1後半パート実施と並行しながら、導出活動を推進  
肝細胞がん患者さんにおける複数のPR症例の獲得と導出一時金の最大化を狙う**



## CBA-1535臨床第1相試験の前半パートが進行中



試験デザイン	前半パート (単剤) 対象：固形がん患者さん	後半パート (がん免疫療法薬との併用) 対象：固形がん患者さん
	<ul style="list-style-type: none"> <li>低用量から段階的に投与し、安全に投与できる最大量を求める</li> <li>初期の薬効シグナルを評価</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>前半パートで安全性が確認できた用量から段階的に投与</li> <li>がん免疫療法薬 (IO) と安全に併用できる最大量を求める</li> <li>併用での初期の薬効シグナルを評価</li> </ul>

### 本開発計画の狙い

- 第1相試験時点からIOとの併用を実施することで、CBA-1535が臨床ニーズを満たす安全性及び有効性を期待できるかを最速で確認することを目的とした開発計画。
- 本試験での安全性の確立が T cell engagerとしてのTribody™創薬の一里塚となる。

# PTRY 新規パイプライン



PTRY (ヒト化抗5T4・抗CD3・抗PD-L1多重特性抗体) 標的分子: 5T4×CD3×PD-L1

## 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。抗原結合部位の標的を①固形がんに発現が認められる 5T4②免疫細胞である T 細胞上の CD3③免疫チェックポイント阻害に関与する PD-L1 としたがん治療用抗体

## 想定適応疾患

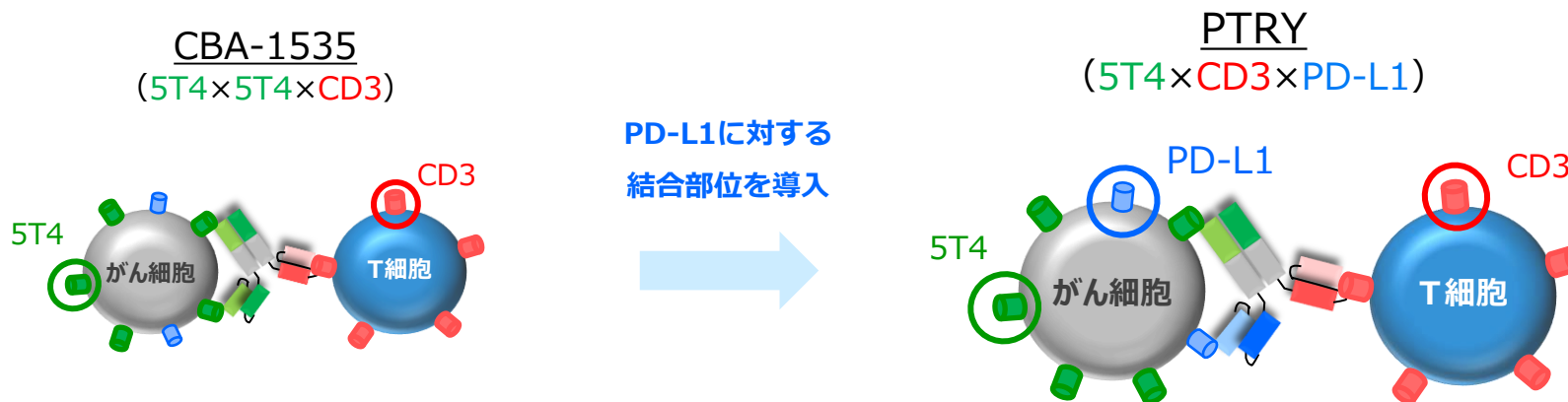
悪性中皮腫、小細胞肺がん、非小細胞肺がん、トリプルネガティブ乳がん(TNBC)等

## 期待

従来のがん免疫療法では十分に効果が期待できなかった患者さんへの新たな治療薬としての開発に期待。また、薬価抑制による医療経済への貢献にも有用と期待。

## 知財

特許出願を完了



イタリアの公的研究機関Ceinge-Biotecnologie Avanzateと行ったがん免疫療法に関する共同研究の成果が、国際的な学術雑誌であるJournal of Experimental & Clinical Cancer Research誌に掲載。  
[Novel tri-specific tribodies induce strong T cell activation and anti-tumor effects in vitro and in vivo | Journal of Experimental & Clinical Cancer Research | Full Text \(biomedcentral.com\)](#)

# PTRY in vivoモデルでの薬効

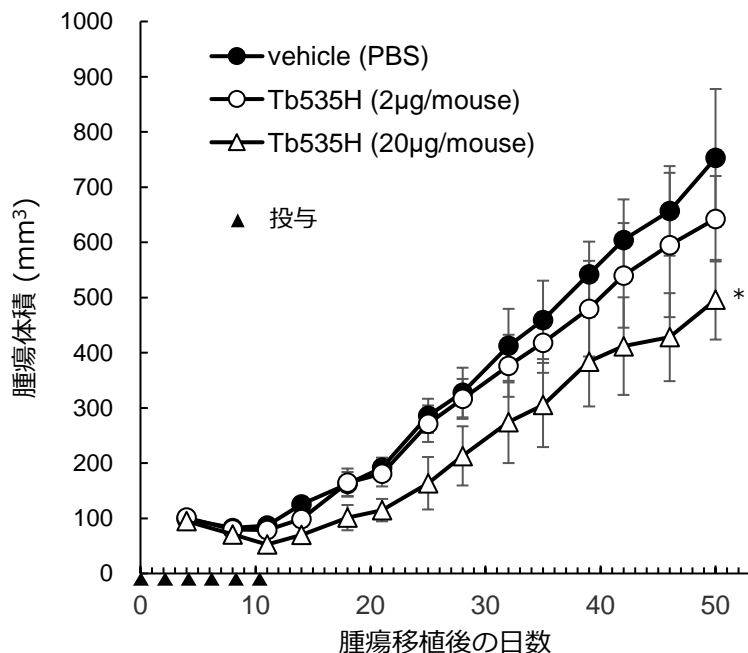


5T4×CD3×PD-L1の組み合わせで強い腫瘍増殖抑制効果を発揮

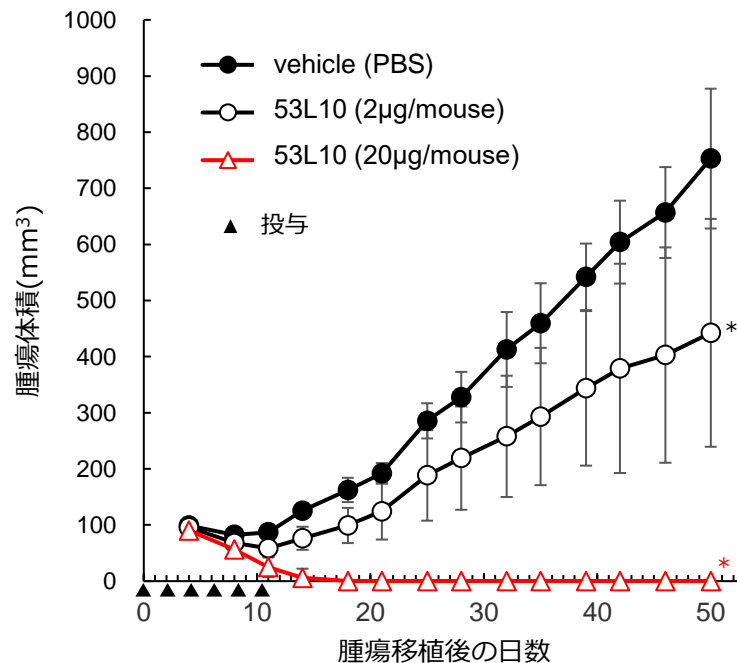
〈肺がんモデルでのin vivo薬効データ〉

Passariello et al. J Exp Clin Cancer Res (2022) 41:269

Tb535H = CBA-1535  
(5T4×5T4×CD3)



53L10 = PTRY  
(5T4×CD3×PD-L1)



CBA-1535の次世代型パイプラインとして、今後の開発・導出に注力

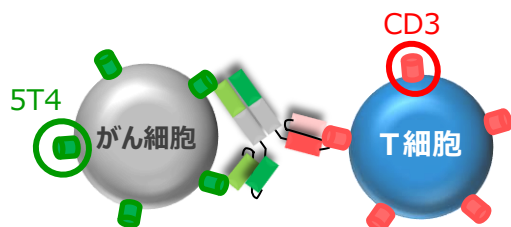




結合する標的や結合する手の数の組み合わせにより、

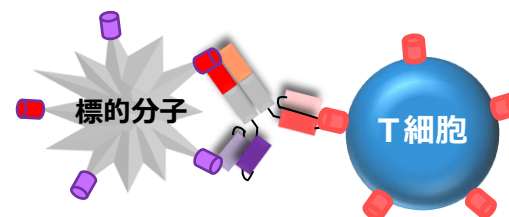
- 1) 通常の抗体以上の効果
- 2) 複数薬剤の併用投与⇒1剤の投与（患者さんのQOL、医療経済的メリット）等が期待される

## CBA-1535（第1相試験中）

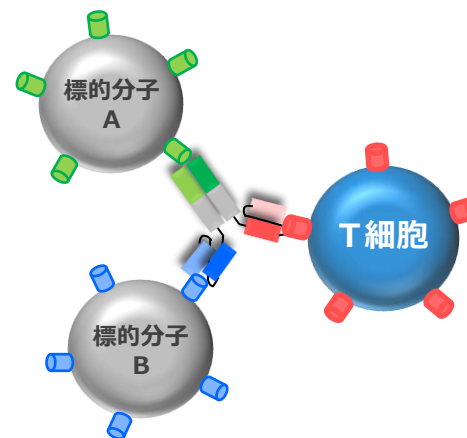
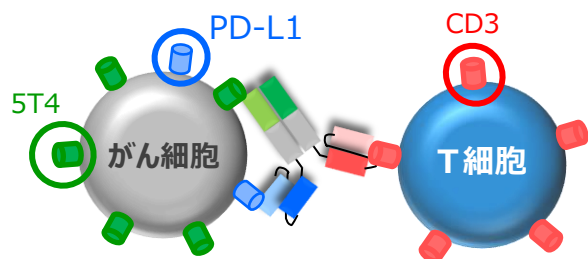


結合する標的の数、組み合わせを自由に変える

## 5T4以外の標的



## PTRY（次世代型CBA-1535）





## 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CDCP1抗体の薬物複合体 (ADC)
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)

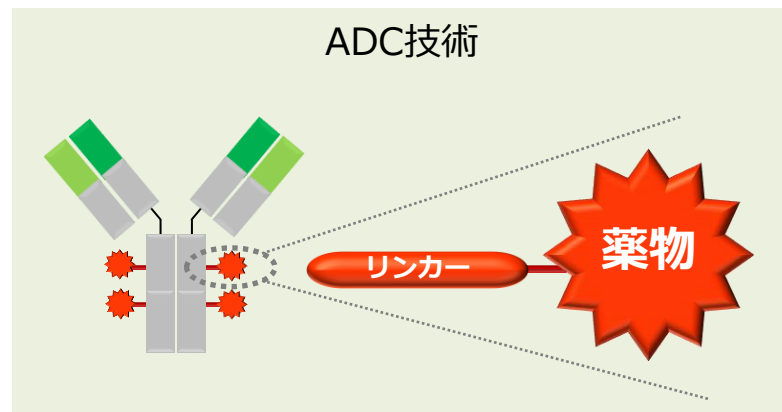
- ✓ ADC用途を中心とした導出活動を推進中
- ✓ 国内外のカンファレンス等で導出候補企業へのコンタクトを進める

### 導出戦略・ターゲット

- ① 独自のADC技術を持っているADC用の抗体が欲しい製薬企業
- ② ADCとしてパイプラインを拡充したい製薬企業

(2023.2Q update)

導出先企業のADC技術と当社抗体の組み合わせによる開発ニーズが高いことから、①の企業への導出活動を優先

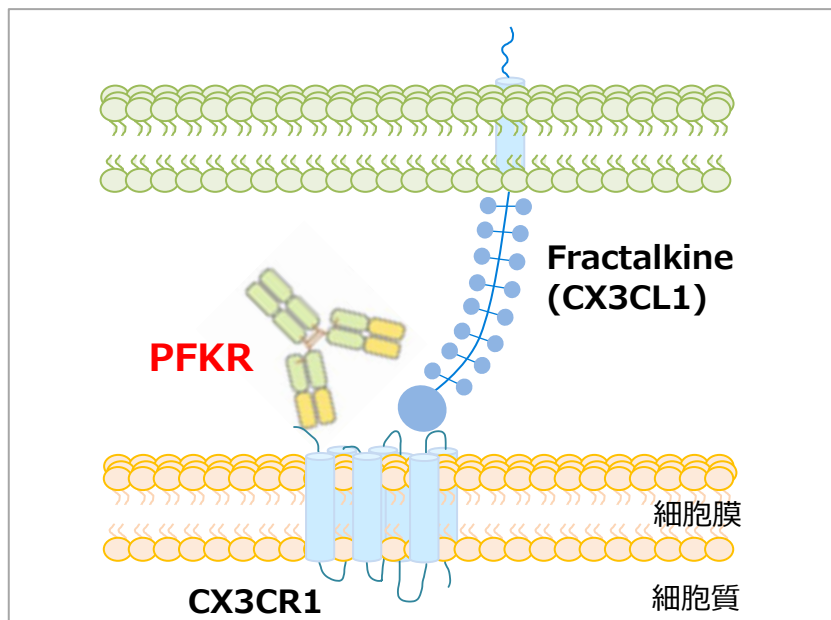


# PFKR 新規パイプライン



## PFKR (ヒト化抗CX3CR1抗体) 標的分子: CX3CR1

特徴	Fractalkine (CX3CL1) receptorの機能阻害抗体であり、自己免疫性神経疾患等の病態進行を抑制する治療用抗体
想定適応疾患	二次進行型多発性硬化症 (SPMS) 等
期待	SPMSは難治性病型の多発性硬化症であり、安全性の高い有効な治療薬の開発が求められている疾患である。SPMSにおける病変 (脱髄、神経変性) に直接的に関わると考えられる細胞傷害性のEomes陽性CD4+T細胞の機能を抑制することで症状の進行を抑制する事を期待。
知財	特許出願を完了
共同研究先	国立精神・神経医療研究センター



CX3CR1はGタンパク質共役型受容体 (GPCR) の1種で、リガンドであるFractalkine (CX3CL1) がCX3CR1発現細胞の炎症局所への遊走を引き起こします。

SPMSにおける病変 (脱髄、神経変性) に直接的に関わると考えられる細胞傷害性のEomes陽性CD4+T細胞にはCX3CR1が多く発現しています。

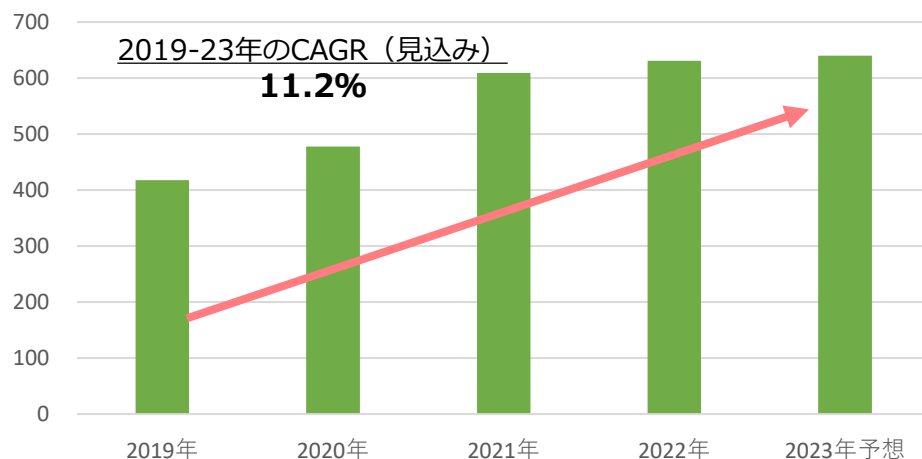


## 製薬企業等との取引

- 2023年12月期2Qの売上高は358百万円（前年同期比：80百万円増）。
- 国内製薬企業から当社の技術サービス力が一定の評価を獲得しており、既存顧客との取引が着実に伸長。
- 国内大手製薬企業、および国内診断薬企業と新たに委受託包括契約を締結。また、新たな顧客との取引（スポット案件）を開始。
- 2023年12月期の創薬支援事業の予想売上高は640百万円。

(単位：百万円)

創薬支援事業売上高推移

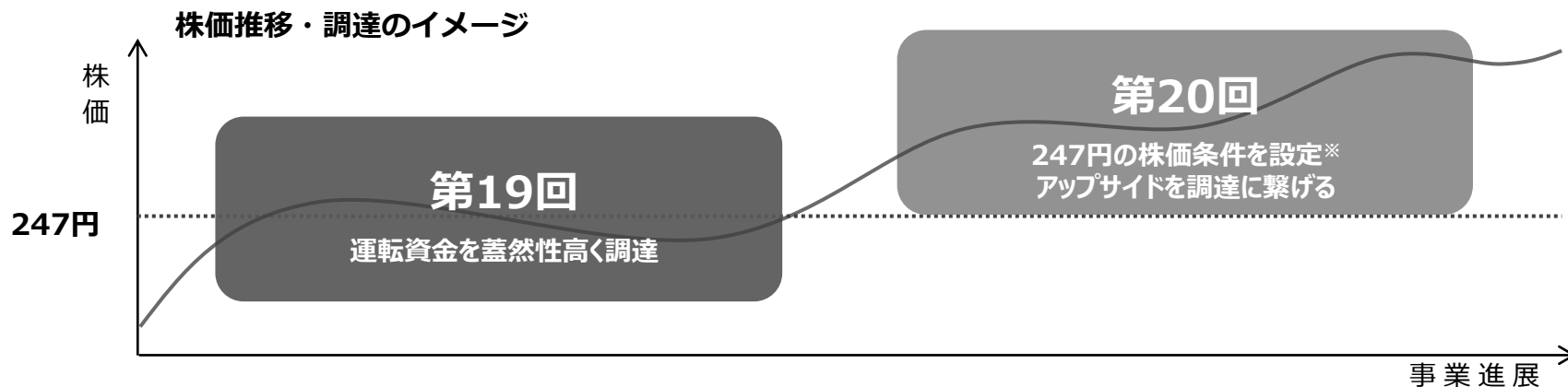


主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社 	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬  TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社 	2018年10月
協和キリン株式会社 	2019年 7月



# 資金調達のスキーム

## 第19・20回の新株予約権ファイナンスによる資金調達の実施 導出契約の成功、事業進展により実現したアップサイドを調達に繋げるスキーム



回号	第19回	第20回
割当先	グロース・キャピタル	バークレイズ・バンク
潜在株式数	6,456,000株	3,228,000株
調達予定額※	11.2億円	7.9億円
希薄化率	13.3%	6.7%

### 資金使途

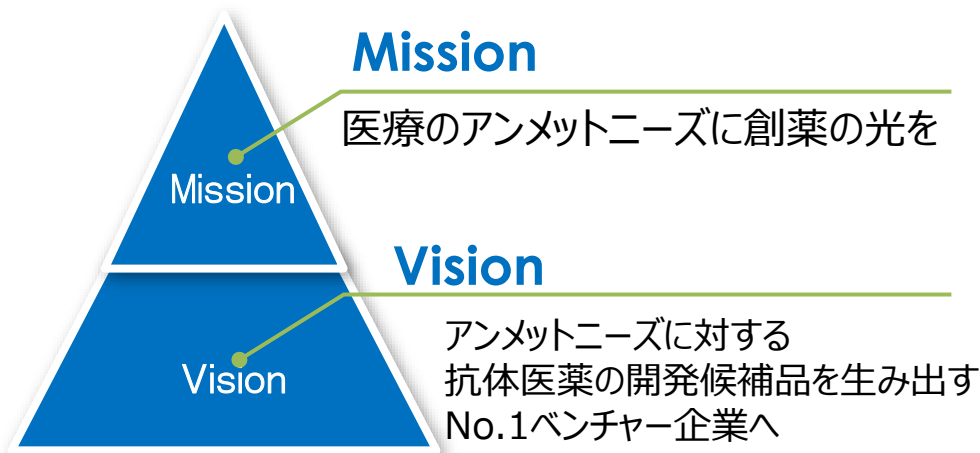
- ①PCDCに続く新たな導出候補品創出のための研究開発費
- ②当社創薬パイプラインの導出交渉を安定的に推進するための運転資金
- ③Tribody™創薬（PTRY）の臨床開発入りに向けたマスターセルバンク構築のためのCMC費用
- ④ラボ拡張のための設備投資や研究機器の増設・リプレイス等への投資



## **(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  
東証グロース (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** 68名  
(研究員48名 うちPhD17名)
- **事業内容** 抗体医薬品の研究開発等  
(2023年6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。



## 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に実施許諾し、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。**





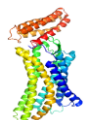
## 技術プラットフォーム (Chiome's mAb Discovery Engine)

### タンパク質調製

発現培養



Recombinant proteins



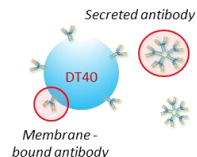
精製



Membrane proteins

### 抗体作製

ADLib®システム



動物免疫  
タンパク質・細胞・DNA

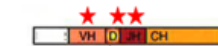
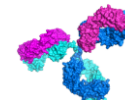


B cell cloning

ハイブリドーマ

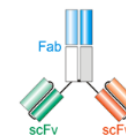
### 抗体エンジニアリング

親和性向上



抗体評価  
機能・親和性・物性

多価抗体作製



試験用抗体生産

### 当社の優位性

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、これら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る

技術プラットフォームを活かした2つの事業の推進

創薬事業

創薬支援事業

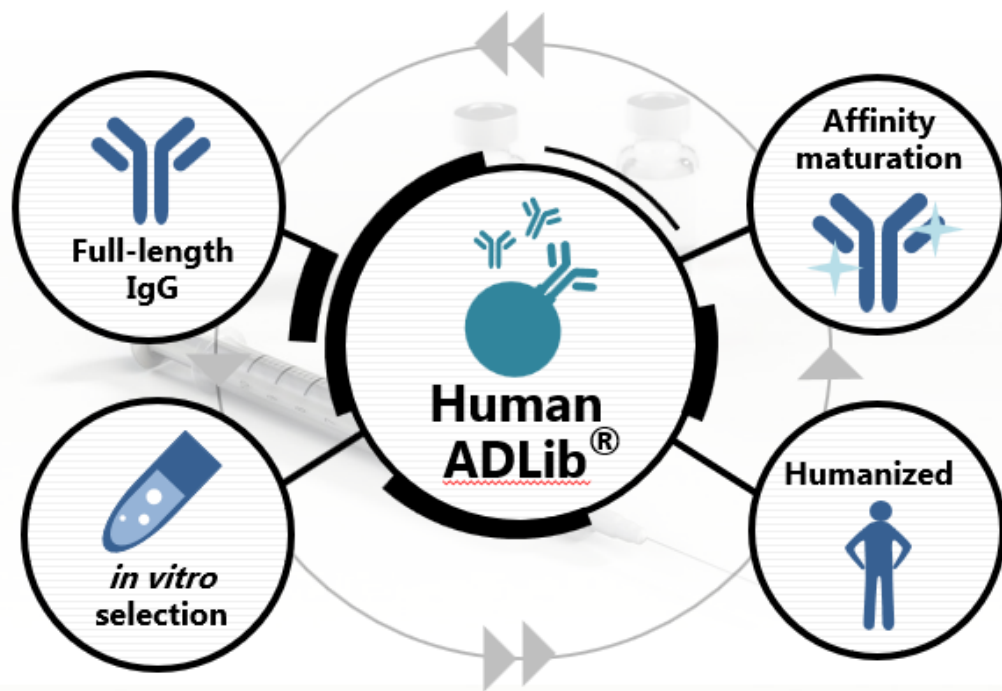
成長を担う事業

安定的な収益を獲得する事業

# コア技術1 : ADLib<sup>®</sup> System



One-stop-order platform for antibody drug discovery



ADLib<sup>®</sup>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抗体作製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<sup>®</sup>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>)

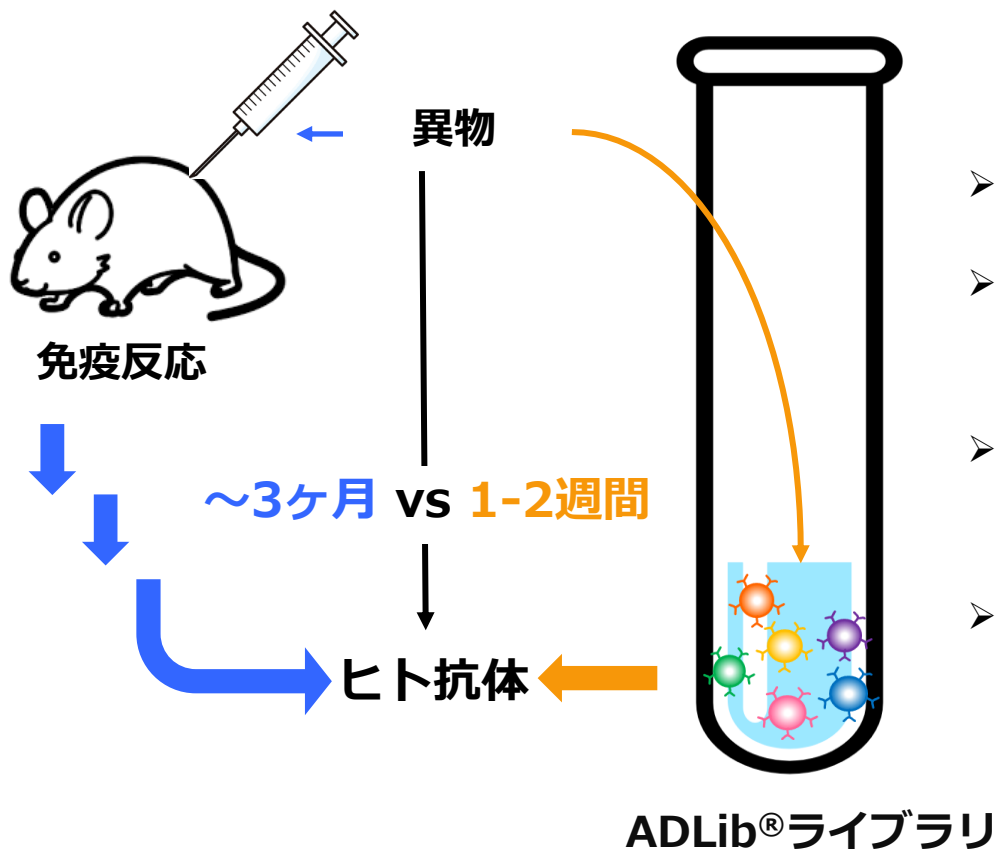
論文のポイント : <https://www.c.u-tokyo.ac.jp/info/news/topics/files/20200527sobunotseo01.pdf>

# コア技術1 : ADLib<sup>®</sup> System

生体（動物）を使わず、試験管内でヒト抗体を作製する方法

## 動物免疫法

## ADLib<sup>®</sup>法



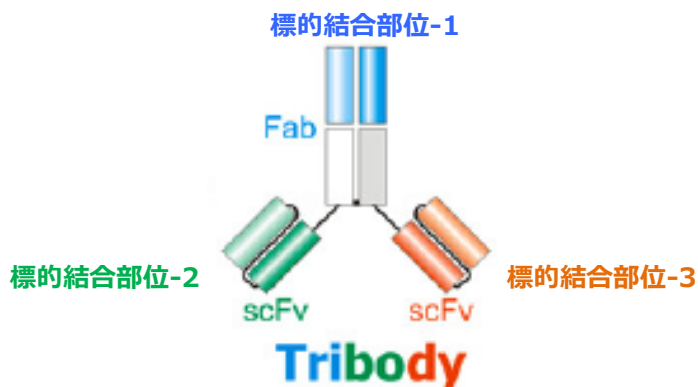
- 短時間でヒト抗体が取得できる
- 動物個体の免疫法と違い、免疫寛容の影響を受けない
- 遺伝子の自律的多様化という特徴を活用し、抗体の高親和性化まで連続でできる
- 早く抗体を取っていち早く特許出願



1つの分子に3つの結合部位があり、異なる機能の組み合わせを可能にする技術

## Tribody™とは

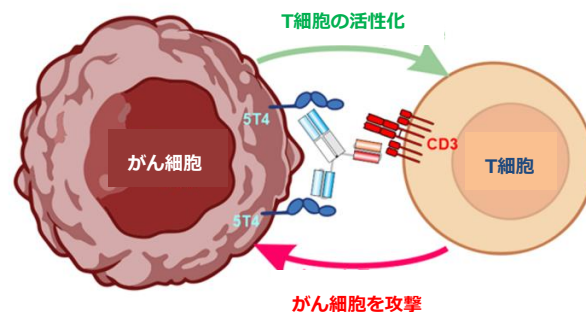
1つの分子の中に3つの異なる抗原結合部位があり、異なる機能を組み合わせることが可能に



※1 抗原とは：ウイルスや細菌、花粉など体内侵入した異物で、生体内で免疫応答を引き起こす物質のことを言います。

## Tribody™を使った医薬品候補物質の創製例

自社プロダクトでの活用例 (CBA-1535)



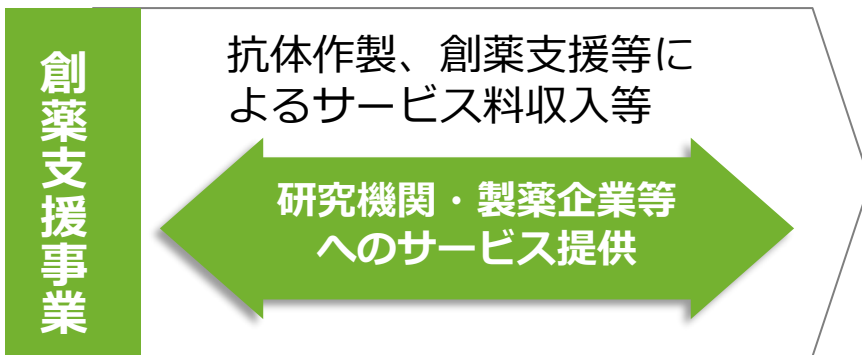
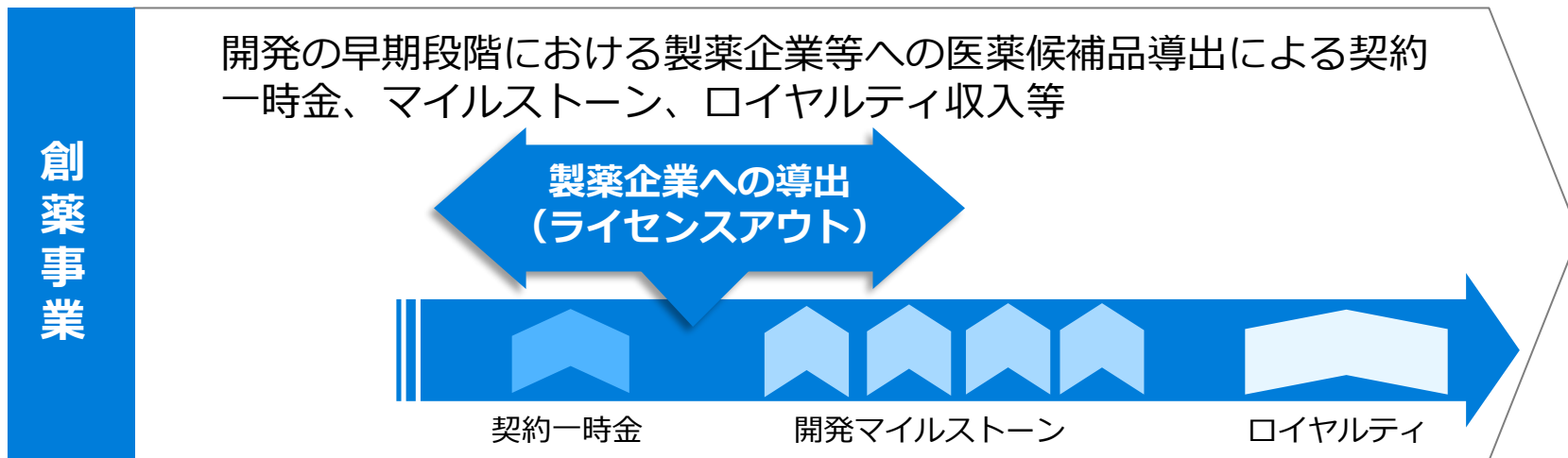
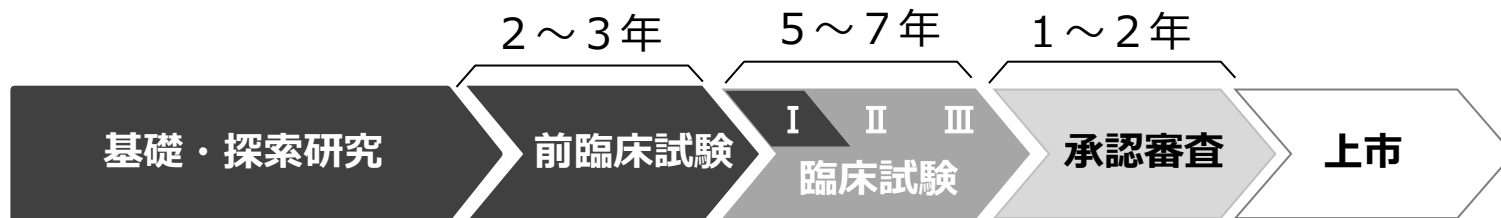
標的を2本の手でがっちり掴み、  
がんを攻撃する細胞を3本目の手で引き寄せ

標的・結合方法により様々な応用が可能



# 収益モデル

## 一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル

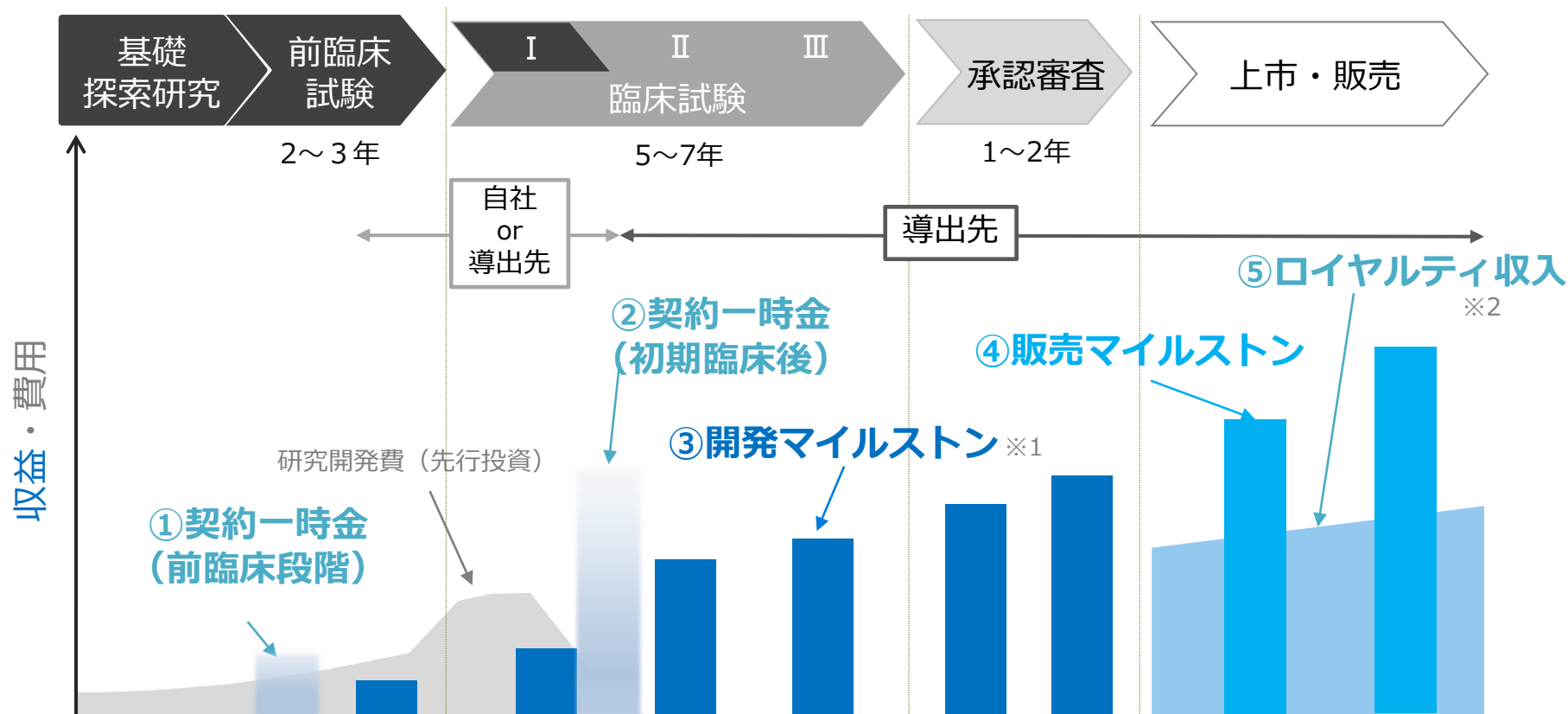


創薬支援事業における主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社	2018年10月
協和キリン株式会社	2019年 7月

# 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ーンの金額が増大  
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



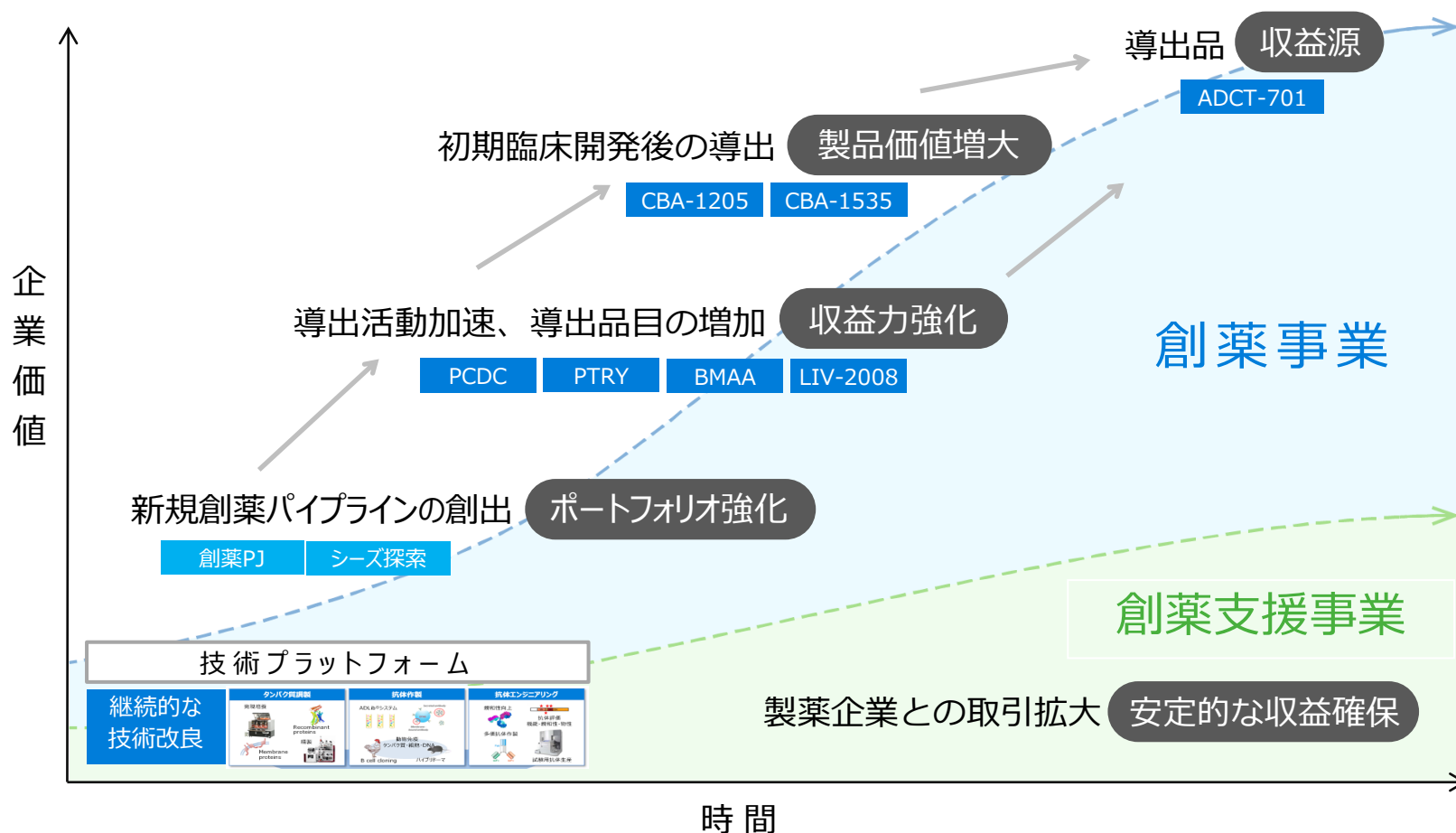
上記は医薬品ライセンス契約をご理解いただくための収益イメージであり、実際の契約では、その契約ごとに契約一時金、マイルストンのステージや数・金額、及びロイヤルティの料率の内容が異なります。

※1 マイルストーンとは：導出後の臨床試験等の進捗にとまない、その節目（マイルストーン）ごとに受領する収入のこと。

※2 ロイヤルティとは：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。



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

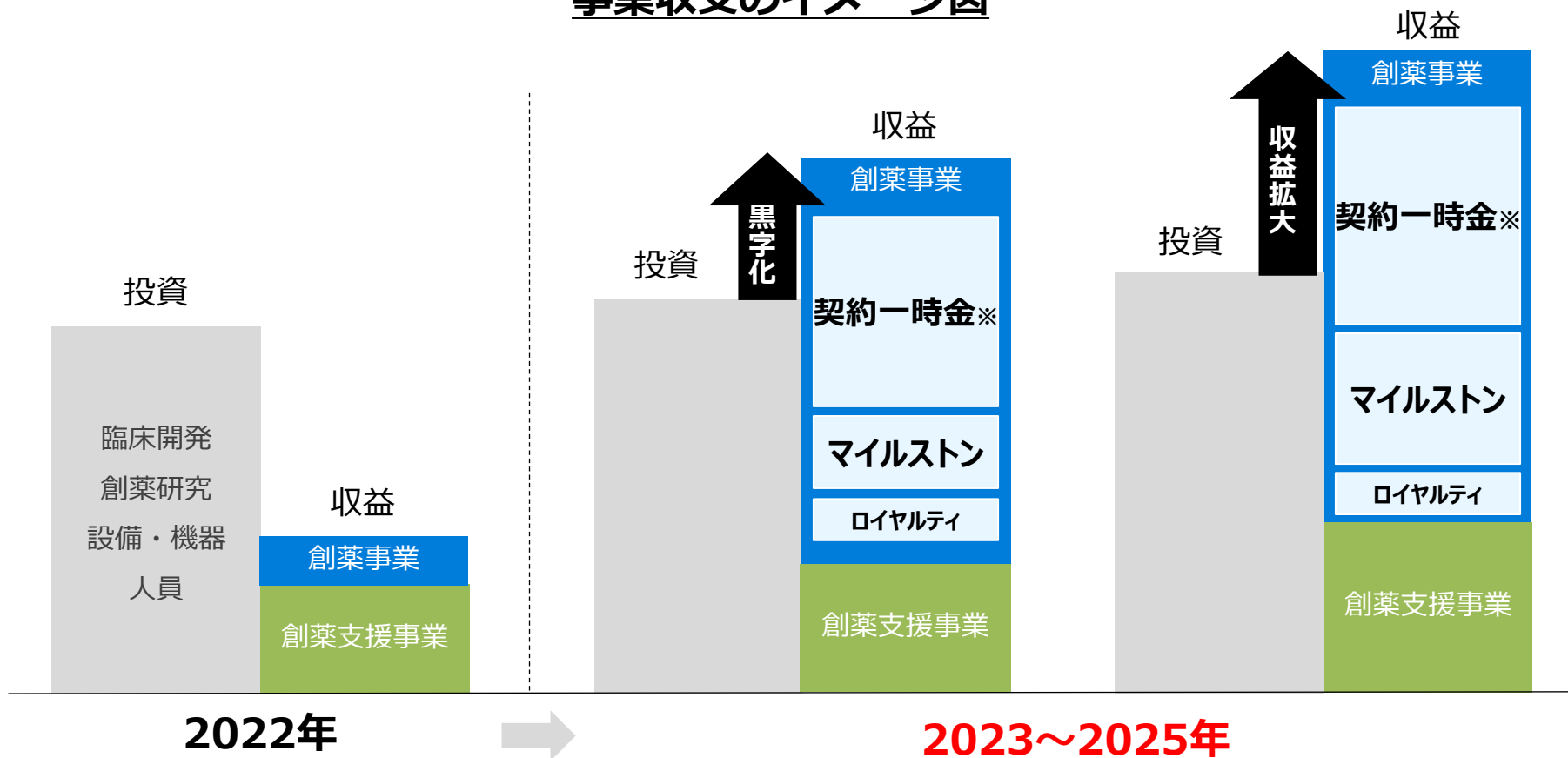


# 単年度黒字実現のイメージ



複数の医薬品候補の導出により投資フェーズから収益フェーズへの転換へ

## 事業収支のイメージ図



※CBA-1205/CBA-1535/PCDCのいずれかの導出契約を想定。以降、マイルストーンを受領する導出契約を想定しております。

本資料公表時点で実際の導出契約における導出先・各種金額等の条件は未定です。当社が想定する収益イメージを示す目的で本資料を作成しております。





## (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

### 特徴

DLK-1を標的とした抗体の薬物複合体 (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

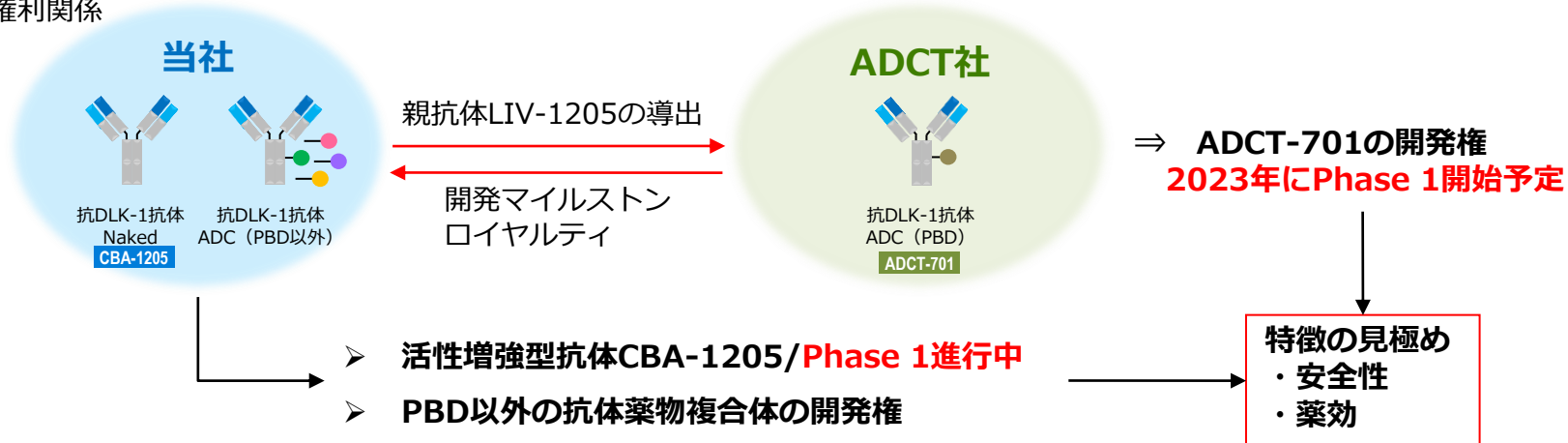
### 知財

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-701は臨床第1相試験を2023年に開始予定。
- ✓ ADCT社の財務状況を鑑み、第1相臨床試験の開発主体はNCIが担うこととなる。

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

### 抗DLK-1抗体の権利関係

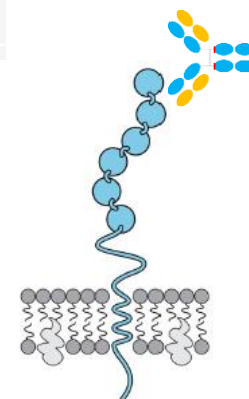




## CBA-1205 (ADCC活性増強型 ヒト化抗DLK-1モノクローナル抗体) 標的分子：DLK-1

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。
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。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 前半パート：患者さんでの安全性を評価 → 登録終了

- ・重篤な副作用の発生は無し
- ・メラノーマの患者さんにおいて腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価が続き24ヶ月以上の継続投与を確認、現在も投与継続中

後半パート：肝細胞がん患者さんでの安全性と有効性の評価を実施中

- ・PR（部分奏功）症例1例確認

### 解決すべきアンメットニーズ

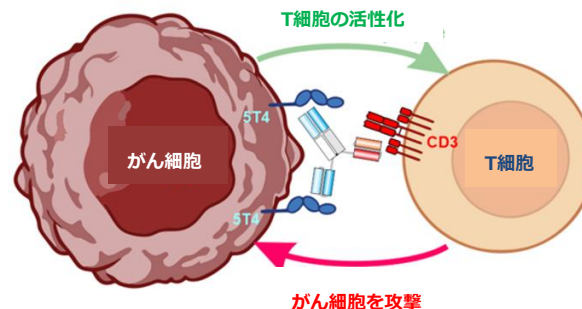
肝細胞がんを始めとした有効な治療薬がない悪性度の高い腫瘍に対する新たな治療薬を提供する。

## CBA-1535（ヒト化抗5T4・抗CD3多重特異性抗体） 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）。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

臨床第1相試験 固形がん患者さんでの安全性と初期の薬効評価を目的とした前半パートを実施中。

治験実施施設：国立がん研究センター中央病院  
静岡がん研究センター



### 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。



## 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

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	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。

- ✓ セマフォリン3Aが関与する疾患に狙いを定めた研究機関との共同研究を実施中。本共同研究により取得した本抗体の新たな薬効データを付加し導出活動を進める。



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

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。

### 2023年1月17日、Shanghai Henlius Biotech, Inc.とのライセンス契約を終了

2021年1月にHenlius社と締結したライセンス契約（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、および全世界における権利についてはオプション権を付与。）の契約を終了することで合意。先行品の開発状況などの事業戦略上の判断により、Henlius社で開発を進めないことが決定。

### 本抗体の導出活動

現在当社が積極的に導出活動を進めるCBA-1205/CBA-1535/PCDCの紹介活動と合わせて、本抗体の導出活動中。



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 <sup>®</sup> 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 <sup>®</sup> 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 Controls 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傷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。