



事業計画及び成長可能性に関する ご説明資料 (2024年2月更新版)

2024年2月28日

株式会社キャンバス
(東証グロース 4575)

前回公表からの更新情報

2024年2月9日公表のとおり当社は、米国規制当局から受領した臨床試験開始承認を踏まえ、最先行化合物CBP501の米国における次相臨床試験を臨床第2b相試験とし、この準備を進めるとともに、併せて欧州でも臨床第3相試験開始を図ることとしました。本資料はこれに伴う「事業計画及び成長可能性に関するご説明」更新版です。前回公表（2023年8月10日付）からの主な更新は下記のとおりです。

p.18

- CBP501に関するここ1年の動向
 - ✓ 米国FDAから第2b相試験開始承認受領
 - ✓ 欧州第3相試験に向けたEMA協議開始

p.25-28

- 臨床第2相試験結果の発表
 - ✓ 学会：ESMO2023
 - ✓ 論文：European Journal of Cancer

p.29-35

- CBP501臨床開発計画の変動
(2024年2月9日公表情報のまとめ)

p.36-45

- 臨床開発方針の選択に至る経過説明
 - ✓ 所与の条件
 - ✓ 今後の欧州申請進捗状況による場合分け
- 今後発生する費用の見通し

p.69-72

- 2024年6月期第2四半期決算・財務の状況

p.78

- 2023年ファイナンスの調達経過

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います。

最先行の候補化合物・免疫着火剤CBP501は、膵臓がん3次治療対象の臨床第2相試験に成功し、この結果はESMOで学会発表されご注目をいただきました。次相臨床試験に関しては、米国では規制当局との協議の結果、臨床第2b相試験の開始承認となりました。現在はこの準備を念のため進めつつ、欧州での臨床第3相試験開始を最優先とし、欧州規制当局との協議を進めています。

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相試験を終え、次相臨床試験の検討を進めています。

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。その中から、有望な動物実験データを示す免疫系抗がん剤化合物CBT005が得られ、前臨床試験開始へ向け準備を続けています。

一般に、創薬企業による自社創出の各パイプラインの開発戦略は、製薬企業等との提携によって開発資金の調達や共同開発・開発費負担の軽減を図る「創薬基盤技術型」と、自ら一気通貫で後期開発まで進める「創薬パイプライン型」に大別できます。

当社は、各パイプラインの状況ごとにリスクとリターン

を勘案して、最適の事業モデルを選択していく考えです。

このたび私たちは、臨床第3相試験に臨むこのタイミングで、CBP501については「創薬パイプライン型」で開発可能な財務基盤の確保が当社の中長期的な企業価値最大化に最も適していると判断し、臨床第3相試験完遂までの資金を確保する目的で、2023年6月にファイナンスを実施しました。

この選択はひとえに、株主・投資家の皆様からのご支援とご付託の賜物です。厚く御礼申し上げます。

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お支えいただき、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適切かつすみやかに反映されるよう邁進します。

皆様には引き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。

2024年2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 (かとずみまこと) 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

小宮山靖行 (こみやま やすゆき)

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年に当社取締役監査等委員就任。

白川彰朗 (しらかわ あきら)

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)

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。

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 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 共同研究等
CBP501 創薬パイプライン型展開				第2相試験完了 主要評価項目達成 米国第2b相試験開始承認取得・欧州第3相試験準備	
CBS9106 創薬基盤技術型展開	前臨床試験終了し導出済み			第1相試験完了	Stemline社
CBP-A08 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				
NEXTプロジェクト がんの「治癒」を目指す 免疫系抗がん剤	CBT005				日本大学
IDO/TDO阻害剤 ほか※					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。

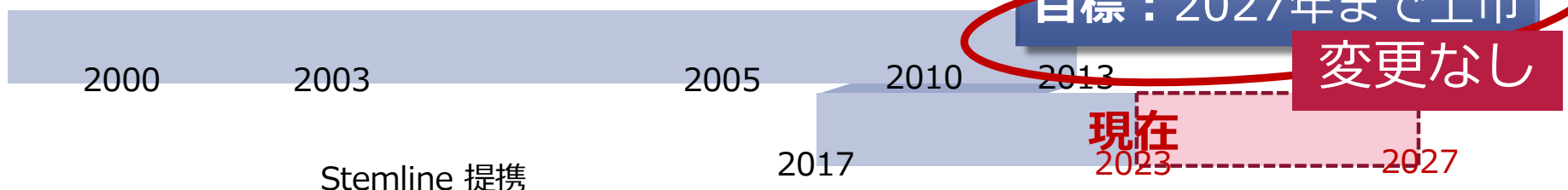
※ IDO/TDO二重阻害剤は、COVID-19（新型コロナウイルス感染症）新規治療薬としての研究も継続（2020年8月4日公表）

各パイプラインの歩み・現状・目標

研究 | 開発



CBP501



CBS9106



CBP-A08

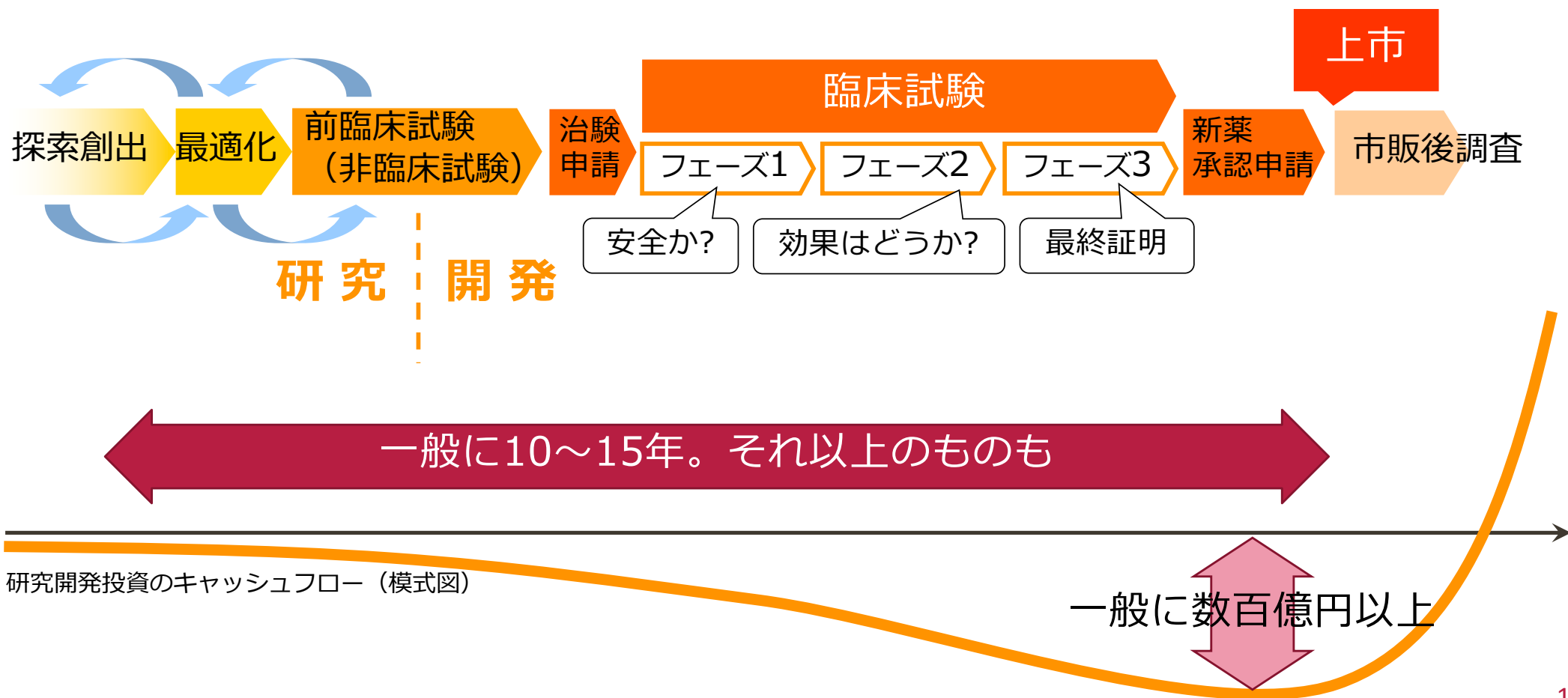


CBT005



一般的な創薬の流れと開発投資・時間軸

「創薬」の流れ



創薬企業の2つの事業モデル

*二者択一ではなく、それぞれに多様なバリエーションがあります。

研究開発投資のキャッシュフロー（模式図）

創薬パイプライン型
(自社で承認近くまで開発)

創薬基盤技術型
(比較的早期に製薬企業等へ導出)

☒ ポジティブ面

- 後期開発リスク（資金調達含む）を導出先に転嫁
- 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

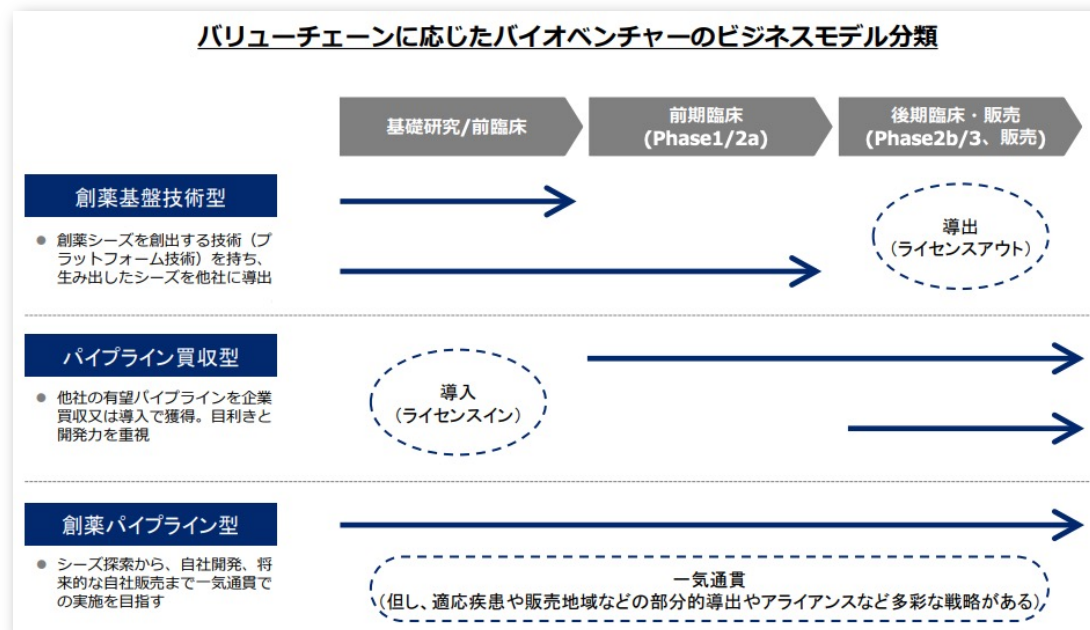
- 化合物を最も知る自社が**開発の主導権**を掌握
- 利益分配への発言機会大 = **リターンの最大化**

☒ 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
- 一時金など収益実現までの期間が長期化

探索から開発、承認・市販まで自社実施を目指すビジネスモデル

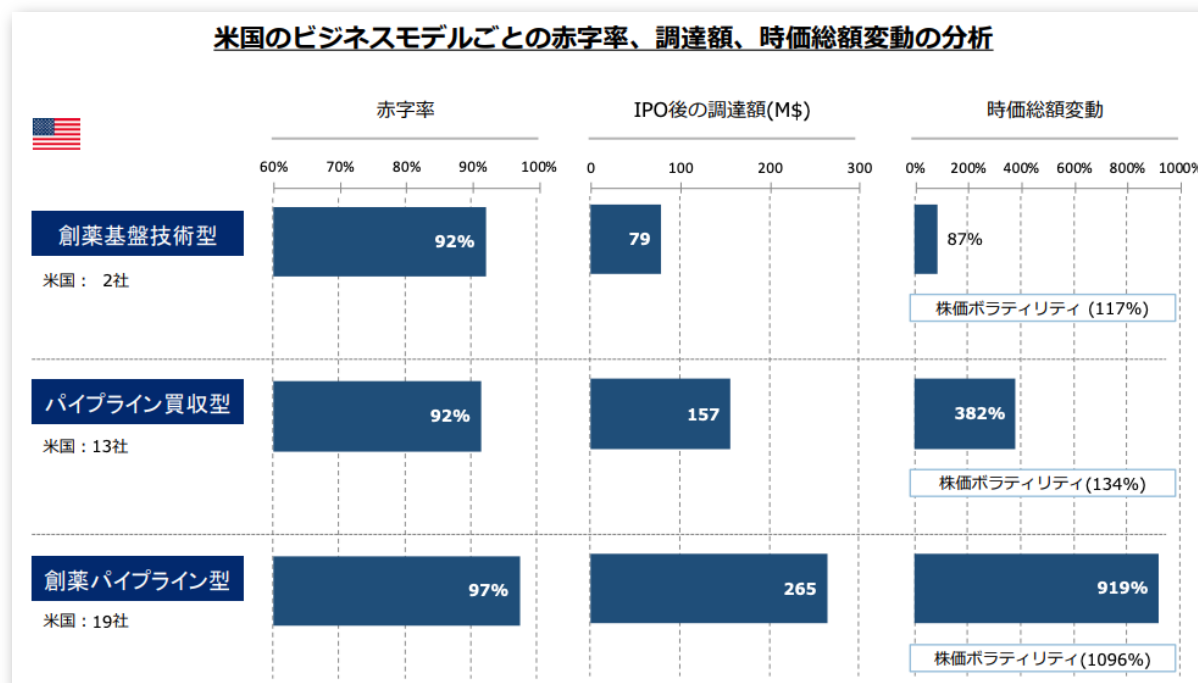
- 基礎研究（探索創出・最適化）→前臨床→早期臨床→後期臨床を一気通貫
 - ✓ ただし、適応や地域などの部分的導出やアライアンスなど多彩な戦略を並行できる
 - ✓ 1社が1つのビジネスモデルのみに分類されるわけではなく、開発品ごとや企業の成長段階に応じて、ビジネスモデルを柔軟に変化させることが可能



先行する米国は「創薬パイプライン型」が大きく成長

➤ 赤字であっても中長期的な企業価値向上が可能

“米国では、研究開発投資先行の創薬パイプライン型が評価される。
 創薬基盤技術提供型は自らのアセットの切り売りとも捉えられる。
 投資家も将来の成長可能性を見込んで創薬パイプライン型への投資を実行する” (米国ベンチャーキャピタル)



- 基礎研究・創出から後期臨床開発まで自社で進めた実績があります
- これを活かし、各パイプラインの特徴に沿った柔軟な開発方針を想定しています
 - 開発パイプラインごとの開発段階・成功確率・費用見込などによって使い分け、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。
- 各パイプラインの現状の想定と今後
 - **CBP501**：自社で承認まで開発する**創薬パイプライン型開発**を想定
並行して、適応や地域などの部分的導出やアライアンスなども選択肢にできる状況です。
 - **CBS9106**：**創薬基盤技術型開発**で、前臨床試験段階で導出し提携先負担で進行中
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。
 - **CBT005**など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おり、それぞれの特徴に沿った開発方針を検討していきます。

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

臨床開発段階にある2つの化合物 この1年の動き

免疫着火剤 CBP501

- 第2相試験（膵臓がん3次治療）：**主要評価項目達成し早期終了を決定。第3相試験へ**
- 米国FDAから膵臓がん対象のオーファンドラッグ指定受領（2023年1月27日公表）
- 欧州臨床腫瘍学会（ESMO）で第2相試験結果を発表（2023年10月24日公表）
- European Journal of Cancerに第2相試験結果を論文公表（2024年2月26日公表）
- 米国FDAとの協議の結果、第2b相試験開始承認を受領（2024年2月9日公表）

引続き2027年承認上市を目標に欧州第3相試験を計画（2024年2月9日公表）

- 欧州EMAへ第3相試験開始申請手続き開始・協議スタート（2024年2月27日公表）
- 欧州第3相試験成功時にはその結果をもとに**米国でも追加試験なく新薬承認申請を目指す**

可逆的XPO1阻害剤 CBS9106（Felezonexor）

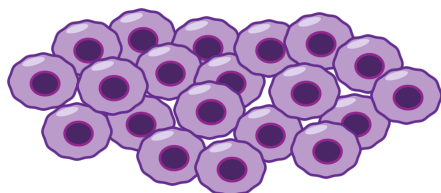
- 提携先Stemline社による米国臨床第1相試験完了（2022年2月14日）

次相試験開始が計画され、引続き事前検討が進んでいます

免疫着火剂 CBP501

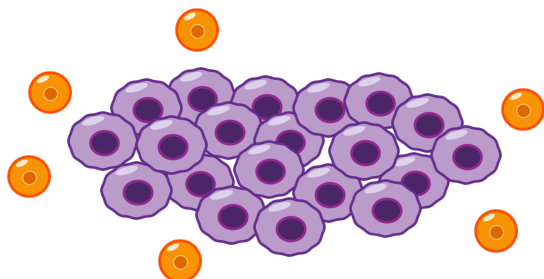
攻撃するための
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に
入り込めていない

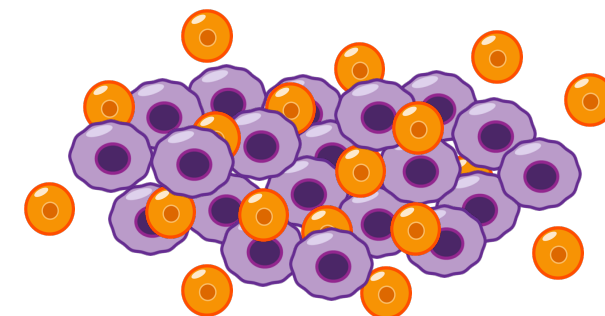
免疫排除



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

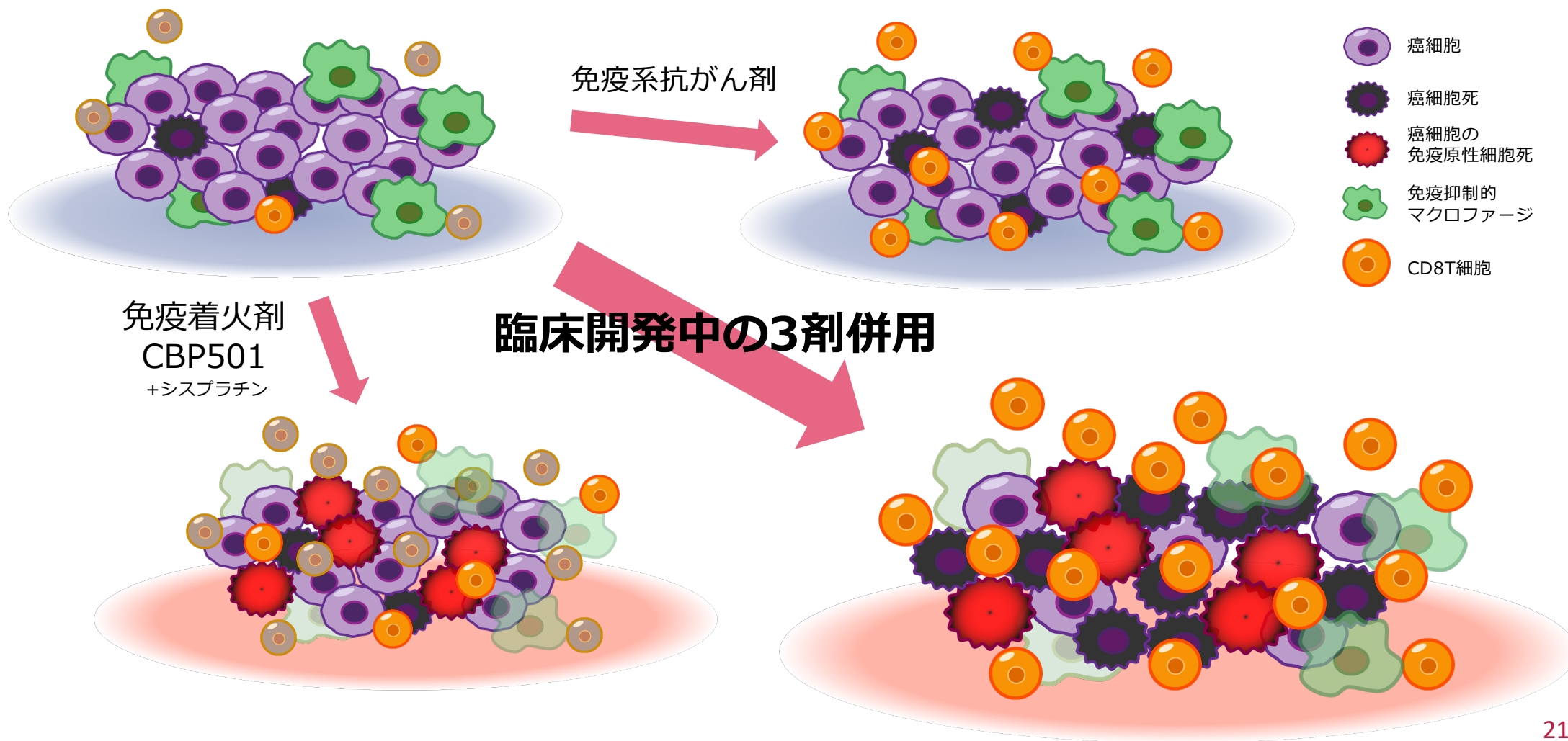


癌細胞



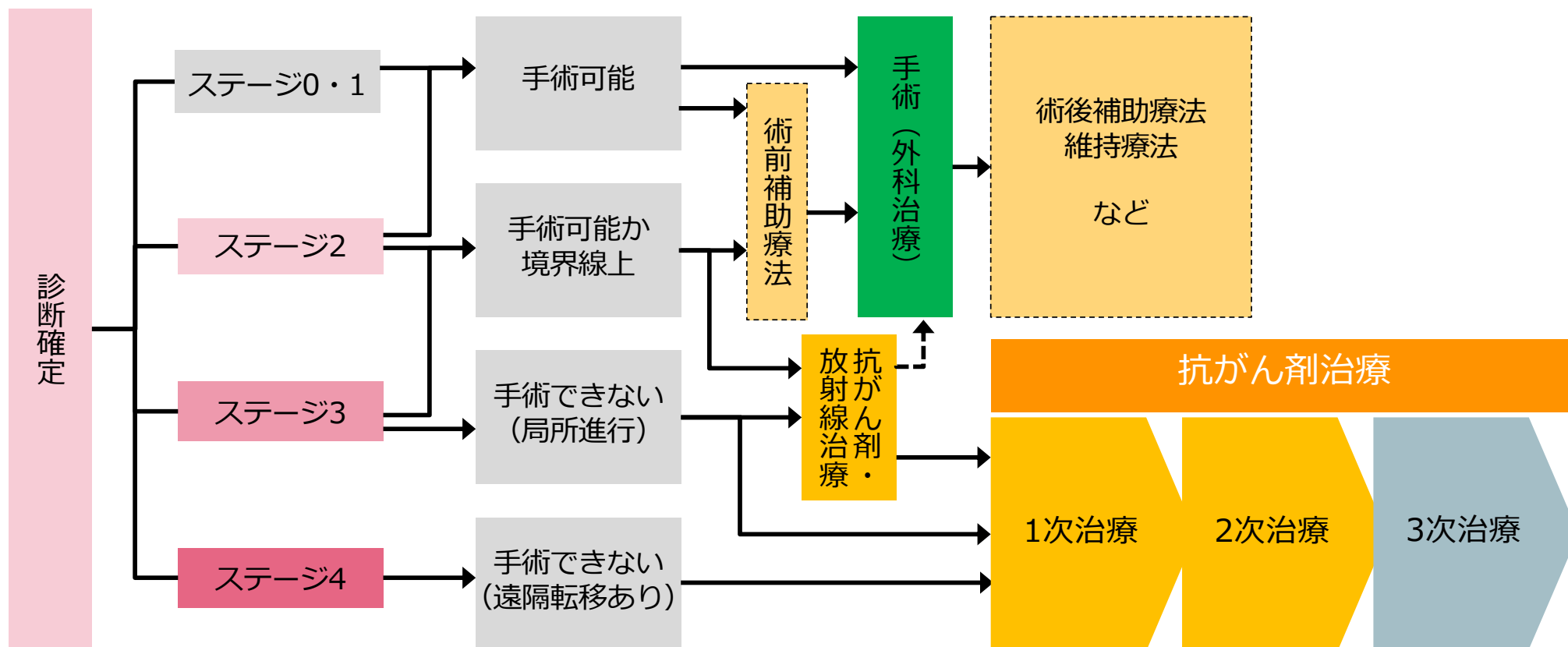
CD8T細胞

CBP501の3剤併用で免疫系抗がん剤を効きやすくする



膵臓がん治療の現状 (1)

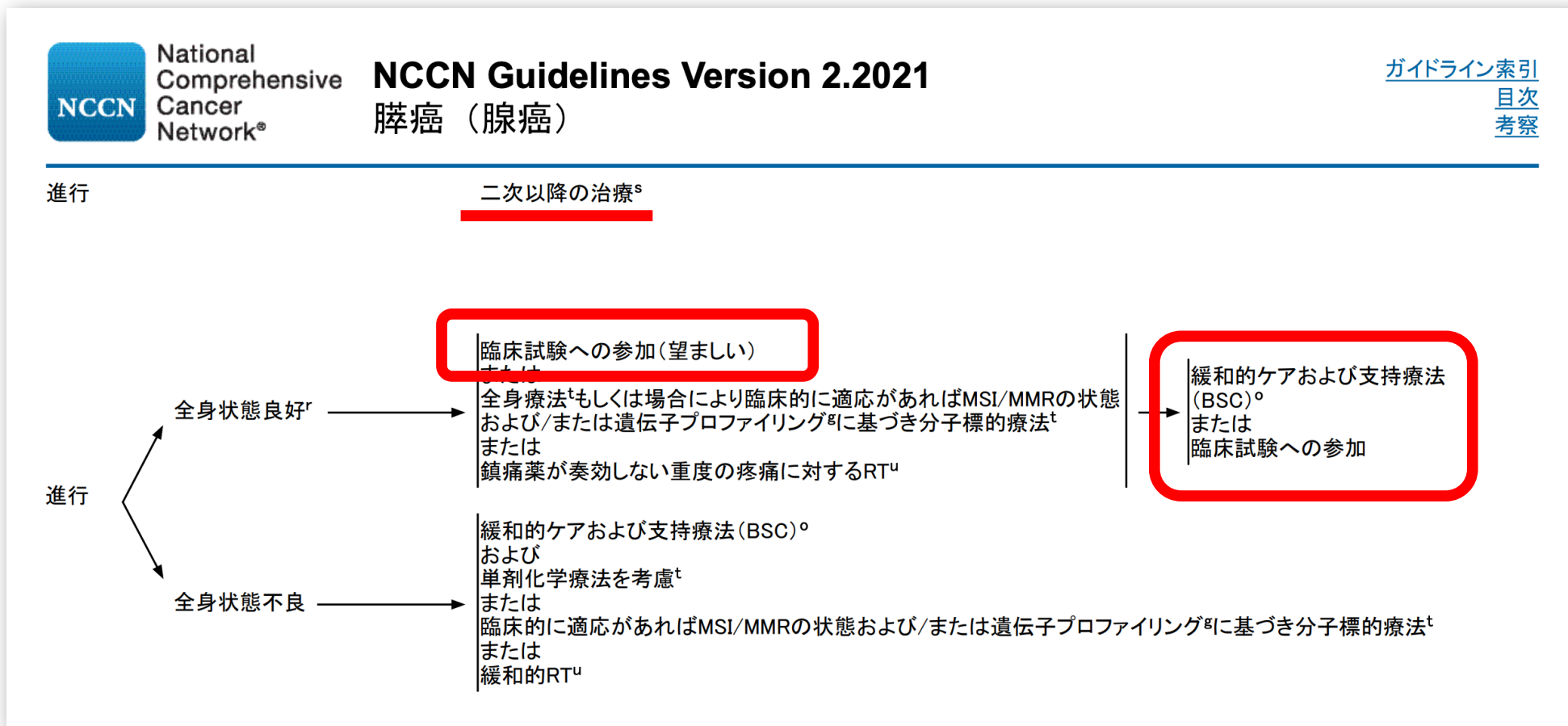
診断ステージと治療の選択フロー (概略図*)



* 一般的な概略を示したものです。具体的な診療及び治療の選択にあたっては、主治医を含む医療チームやがん支援相談センターにご相談ください。

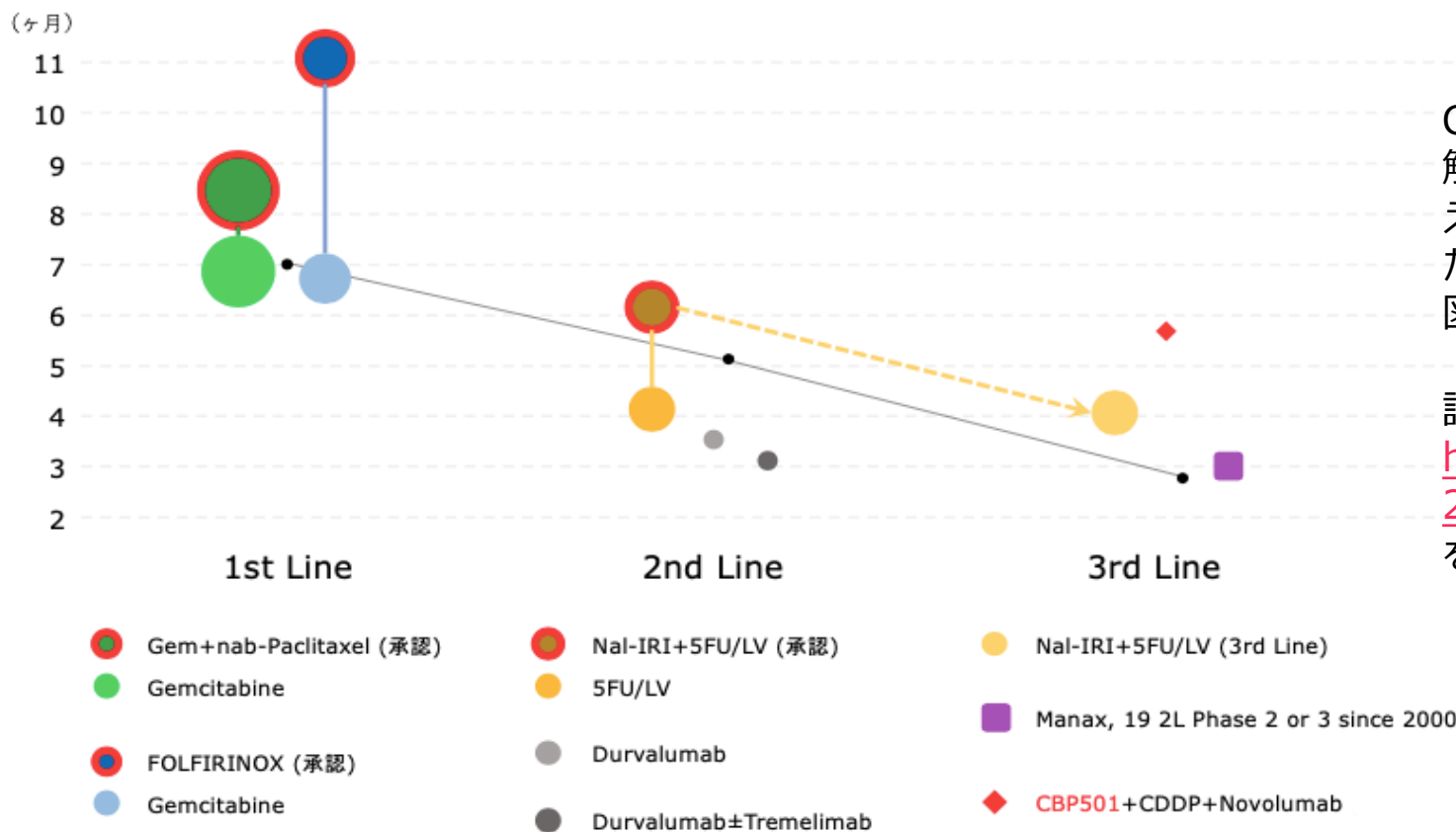
膵臓がん治療の現状 (2)

2次治療を終えた以降に有効な薬剤がなく、新薬の登場が切望されている



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。

ESMO(欧州臨床腫瘍学会)で第2相結果を発表

第2相結果を論文(EUROPEAN JOURNAL OF CANCER)発表

CBP501臨床第2相試験データ学会発表



欧州臨床腫瘍学会 (ESMO) 年次総会 (2023年10月20~24日 スペイン・マドリッド)

MADRID 2023 ESMO Congress

FPN# 1625P

Multicenter, randomized, parallel group, phase 2 study to establish the efficacy and safety of CBP501, cisplatin, and nivolumab for 23rd line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC <10,000/mm³

T. Enzler¹, A. Nguyen², J. Misleh³, V.J. Cline⁴, M. Johns⁵, N. Shumway⁶, A. S. Paulson⁷, R. Siegel⁸, T. Larson⁹, W. Messersmith¹⁰, D. Richards¹¹, J. Chaves¹², E. Pierce¹³, M. Zalupski¹⁴, V. Sahai¹⁵, D. Orr¹⁶, T. Kawabe¹⁷, S.A. Ruste¹⁸, A. Haun¹⁹

¹Medicine Department, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA; ²Medicine Department, Comprehensive Cancer Centers of Nevada, Henderson, NV, USA; ³Medical Oncology, Medical Oncology Hematology Consultants PA, Newark, Detroit, MI, USA; ⁴Onco, Texas Oncology Austin, Austin, TX, USA; ⁵Medical Oncology, Oncology Hematology Care Inc., Cincinnati, OH, USA; ⁶Onco, Texas Oncology San Antonio, San Antonio, TX, USA; ⁷Medical Oncology Department, Texas Oncology - Baylor Sammons Cancer Center, Dallas, TX, USA; ⁸Onco, Illinois Cancer Specialists, Arlington Heights, IL, USA; ⁹Onco, Minnesota Oncology, Minneapolis, MN, USA; ¹⁰Onco, University of Colorado Cancer Center Anschutz Cancer Pavilion, Aurora, CO, USA; ¹¹Onco, Texas Oncology-Tyler, Tyler, TX, USA; ¹²Onco, Northwest Medical Specialties, Tacoma, WA, USA; ¹³Onco, Ochsner Clinic Foundation, New Orleans, LA, USA; ¹⁴Onco, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA; ¹⁵Onco, Mary Crowley Cancer Research Center, Dallas, TX, USA; ¹⁶Onco, CanBas Co., Ltd., Numazu City, Shizuoka Pref., Japan; ¹⁷Medical Affairs, Veristat LLC, Southborough, MA, USA; ¹⁸Global Medical Affairs, Veristat LLC, Southborough, MA, USA.

INTRODUCTION

Metastatic pancreatic ductal adenocarcinoma (PDAC) is an aggressive disease without third line standard-of-care treatment option and a low survival rate¹. CBP501 is a synthetic, cell-permeable dodecapeptide (12-amino acid) G2 checkpoint abrogator and calmodulin-modulating peptide that increases platinum influx into tumor cells inducing tumor immunogenic cell death, suppresses M2 macrophages, reduces cancer stem cell populations and tumor cell migration and enhances anti-tumor activity with anti-programmed cell death-1 (anti-PD-1).

OBJECTIVES

This multicenter, randomized, parallel group, phase 2 study was conducted to assess the efficacy and safety of CBP501, cisplatin, and nivolumab for 23rd line treatment in patients with exocrine pancreatic cancer and white blood cell count (WBC) <10,000/mm³ (NCT: 04953962).

METHODS

Patients with metastatic PDAC, who received 2 or more lines of systemic therapy, with WBC <10,000/mm³ were stratified by Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) status (0 vs 1) and liver metastasis (present vs absent) and randomized 1:1:1:1 to one of the following 4 arms:
 1 - CBP501 25 mg/m² + cisplatin 60 mg/m² + nivolumab 240 mg
 2 - CBP501 16 mg/m² + cisplatin 60 mg/m² + nivolumab 240 mg
 3 - CBP501 25 mg/m² + cisplatin 60 mg/m²
 4 - cisplatin 60 mg/m² + nivolumab 240 mg

Therapy was administered every 3 weeks. Patients received up to 4 cycles of combination therapy, then, for patients without disease progression, up to 6 cycles of single-agent nivolumab every 21 days (nivolumab arms only). The primary endpoint was 3-month progression-free survival rate (3M PFSR) in the Intent-To-Treat (ITT) population. Secondary endpoints were safety, progression-free survival (PFS), confirmed and timepoint objective response rate (CRR/ORR) by Response Evaluation Criteria in Solid Tumors (RECIST) v1.1, duration of response (DOR), disease control rate (DCR) and overall survival (OS).

A Fleming 2-stage design was used. In stage one, if 51 patient was progression-free at 3 months, the treatment group was stopped for futility. If 24 patients were progression-free at 3 months, the treatment group was stopped, and the null hypothesis rejected. Otherwise, 14 additional patients were to be accrued to the study arm in the second stage.

RESULTS- PATIENT CHARACTERISTICS

Between 09 December 2021 and 03 August 2022, a total of 36 patients enrolled at 14 sites in the US; nine patients were randomized to each of the 4 treatment arms. Overall, the median age was 69.0 years (range 41-81 years), the majority were male (19 patients, 52.8%), white (32 patients, 88.9%) and had baseline ECOG status of 1 (23 patients, 63.9%). Most patients had liver metastases (24 patients, 66.7%) and received a median of 3 prior lines of systemic therapy. No significant differences in demographics and baseline characteristics were observed across treatment arms.

RESULTS- EFFICACY: PRIMARY ENDPOINT (3M PFSR)

Arms 1 and 2 met the primary efficacy objective, achieving the end-point threshold pre-defined for the study (35%). On 28 October 2022, the safety monitoring committee recommended not to proceed to the second stage for all treatment arms due to the favorable outcomes in the experimental arms.

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
3M PFSR, n (%)	4 (44.4)	4 (44.4)	1 (11.1)	3 (33.3)	12 (33.3)
(Lower 90% CI)	(21.04)	(21.04)	(1.16)	(12.95)	(22.85)

3M PFSR - 3-month progression-free survival rate, PFS time greater than 61 days after randomization, considering the planned tumor assessment schedule and visit window allowed; CI - confidence interval

RESULTS- EFFICACY: SECONDARY ENDPOINTS

Progression-Free Survival

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
Events, n (%)	7 (77.8)	9 (100)	6 (66.7)	8 (88.9)	30 (83.3)
Patients who had progressive disease	6 (66.7)	9 (100)	5 (55.6)	8 (88.9)	28 (77.8)
Patients who died	1 (11.1)	0	1 (11.1)	0	2 (5.6)
Censored observations, n (%)	2 (22.2)	0	3 (33.3)	1 (11.1)	6 (16.7)
Median PFS, months (95% CI)	2.8 (1.35-5.86)	2.1 (1.35-3.03)	1.6 (1.38-NA)	1.5 (1.16-4.47)	1.7 (1.48-2.80)
6-Month PFS, % (95% CI)	15.6 (0.79-49.09)	11.1 (0.61-38.77)	0 (NA-NA)	12.5 (0.66-42.27)	10.4 (2.67-24.38)

CI - confidence interval; NA - not available; PFS - progression-free survival. Note: a patient was censored at date of randomization if death was observed without any post-baseline tumor assessments performed.

Objective Response Rate

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
Best Overall Response, n (%)	9	9	9	9	36
Complete Response (CR)	0	0	0	0	0
Partial Response (PR)	2 (22.2)	0	0	0	2 (5.6)
Stable Disease	1 (11.1)	1 (11.1)	0	3 (33.3)	5 (13.9)
Progressive Disease	4 (44.4)	8 (88.9)	5 (55.6)	5 (55.6)	22 (61.1)
Not Evaluable	2 (22.2)	0	4 (44.4)	1 (11.1)	7 (19.4)
Confirmed ORR, n (%) (95% CI)	2 (22.2) (2.81-50.01)	0 (0.0) (0.00-33.63)	0 (0.0) (0.00-33.63)	0 (0.0) (0.00-33.63)	2 (5.6) (0.68-18.66)

CI - confidence interval; ORR - objective response rate, includes randomized patients without measurable disease at baseline and at least 1 post-baseline tumor assessment, best overall response was considered not evaluable if no post-baseline tumor assessment was performed.

Disease Control Rate

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
DCR, n (%) (95% CI)	3 (33.3) (7.49-70.07)	1 (11.1) (0.28-48.25)	0 (0.0) (0.00-33.63)	3 (33.3) (7.49-70.07)	7 (19.4) (8.19-36.02)

CI - confidence interval; DCR - disease control rate

Duration of Response

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
Median DOR ¹ , days (95% CI)	124.5 (107.0-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	124.5 (107.0-NA)

¹ Complete response and partial response only (n=2)
 CI - confidence interval; DOR - duration of response; NA - not applicable

Overall Survival

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
OS Events, n (%)	6 (66.7)	8 (88.9)	9 (100)	7 (77.8)	30 (83.3)
Censored Observations, n (%)	3 (33.3)	1 (11.1)	0	2 (22.2)	6 (16.7)
Median OS, months (95% CI)	6.3 (0.79-NA)	5.3 (2.89-10.36)	3.7 (0.86-5.39)	4.9 (1.09-NA)	4.7 (2.96-5.66)

CI - confidence interval; NA - not available; OS - overall survival

RESULTS- SAFETY

Safety was evaluable in 33 patients. Most treatment-emergent adverse events (TEAEs) were grade 1-2 (20 patients, 60.6%). TEAEs leading to dose interruption were due to infusion-related reactions (IRR) related to CBP501 (17 patients, 51.5%). TEAEs that led to treatment discontinuation occurred in 1 patient (3.0%), with disease progression as the primary reason for treatment discontinuation.

Parameter, n (%)	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=33)
TEAE	7 (87.5)	9 (100)	8 (100)	8 (100)	32 (97.0)
Treatment-related	7 (87.5)	9 (100)	8 (100)	5 (62.5)	29 (87.9)
CBP501-related	7 (87.5)	8 (88.9)	7 (87.5)	-	22 (66.7)
TEAE Grade ≥3	5 (62.5)	4 (44.4)	3 (37.5)	0	12 (36.4)
Treatment-related	2 (25.0)	0	2 (25.0)	0	4 (12.1)
CBP501-related	1 (12.5)	0	2 (25.0)	-	3 (9.1) [†]
Serious TEAE	3 (37.5)	2 (22.2)	2 (25.0)	0	7 (21.2)
TEAE leading to dose reduction of any study drug	1 (12.5)	1 (11.1)	1 (12.5)	0	3 (9.1)
Treatment-related	1 (12.5)	1 (11.1)	1 (12.5)	0	3 (9.1)
CBP501-related	1 (12.5)	0	1 (12.5)	-	2 (6.1) [†]
TEAE leading to study discontinuation	0	0	1 (12.5) [‡]	0	1 (3.0)
TEAE leading to death	0	0	1 (12.5) [§]	0	1 (3.0)

[†] anemia, acute kidney injury, hypertension [‡] decreased creatinine clearance and anemia [§] CBP501-related Grade 2 IRR
[‡] pancreatic carcinoma (death was not related to treatment)

Most Common TEAEs (≥20% of Patients Overall), n (%)	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=33)
Infusion-related reaction	7 (87.5)	6 (66.7)	7 (87.5)	0	20 (60.6)
Fatigue	3 (37.5)	6 (66.7)	3 (37.5)	4 (50.0)	16 (48.5)
Constipation	1 (12.5)	4 (44.4)	4 (50.0)	2 (25.0)	11 (33.3)
Nausea	2 (25.0)	4 (44.4)	1 (12.5)	3 (37.5)	10 (30.3)
Decreased appetite	2 (25.0)	5 (55.6)	1 (12.5)	1 (12.5)	9 (27.3)
Abdominal pain	2 (25.0)	2 (22.2)	3 (37.5)	0	7 (21.2)
Weight decreased	2 (25.0)	1 (11.1)	2 (25.0)	2 (25.0)	7 (21.2)

The most common CBP501-related TEAE was IRR (19 patients, 57.6%) among those who received CBP501; no grade 3 IRRs occurred. Only 1 SAE (acute kidney injury) was probably related to CBP501 (definitely related to cisplatin [Arm 3]). One TEAE (pancreatic carcinoma) led to death but was not related to treatment.

CONCLUSIONS

CBP501 with cisplatin and nivolumab yielded durable responses and clinically meaningful improvement in 3M PFSR, PFS and OS, with tolerable safety as third-line treatment for metastatic PDAC. This chemioimmunotherapy treatment combination warrants further investigation.

REFERENCES

Orth M, Metzger P, Geum S et al. Pancreatic ductal adenocarcinoma: biological hallmarks, current status, and future perspectives of combined modality treatment approaches. *Radiat Oncol.* 2019 Aug 6;14(1):141. doi: 10.1186/s13014-019-1345-6. PMID: 31395066.

FUNDING: CanBas Co., Ltd.
DISCLOSURES: AstraZeneca, BioMed Valley Discoveries, Amgen, Takeda Oncology, NeolimunaTech, Abbvie, Hoosier Cancer Research Network, Eisai, CanBas, Arous Biosciences, Agenus, Tverdi, ECOG-ACRIN.

CONTACT INFORMATION
 Corresponding authors emails:
 Dr. Thomas Enzler (tENZLER@med.umich.edu);
 Dr. Athena Ruste (athena.ruste@veristat.com)



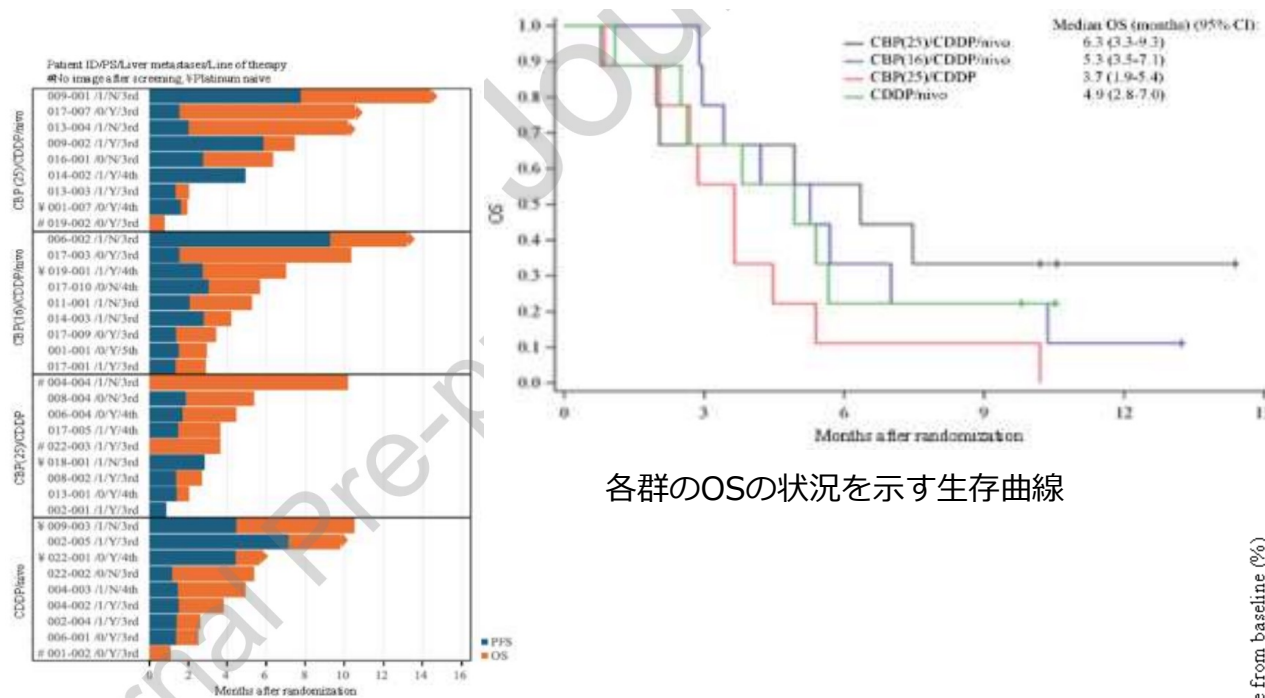
ポスター発表されたCBP501臨床第2相試験結果

- 主要評価項目 3ヶ月無増悪生存率
 - ✓ 第1群（3剤併用・CBP501 25mg）第2群（3剤併用・CBP501 16mg）で達成
 - ✓ 良好な結果を受け、安全性モニタリング委員会はステージ2に進まないことを推奨
- 副次的評価項目（無増悪生存・客観的奏効率・病勢コントロール率・奏効期間・全生存・安全性）
 - ✓ これらに関する解説は[当社ブログ記事](#)（2023年10月24日）をご参照ください
- 結論

CBP501・シスプラチン・ニボルマブの併用療法は、転移性膵臓腺がんに対する3次治療として、**忍容性のある安全性**で、3ヶ月無増悪生存率、無増悪生存期間および全生存期間において、**持続的な奏効と臨床的に意義のある改善**をもたらした。この化学免疫併用療法は、さらなる検討を進めるべきである。

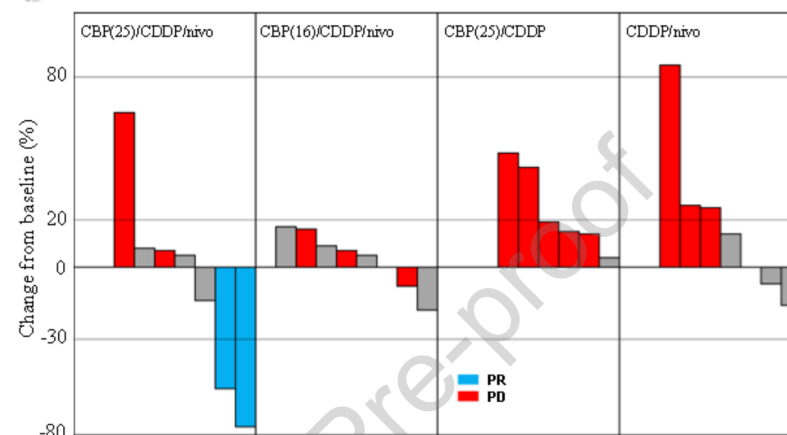
CBP501臨床第2相試験データ論文発表

“European Journal of Cancer”(Pre-proof)で新たに公表された図表



各群のOSの状況を示す生存曲線

腫瘍サイズの増大/縮小を示すウォーターフォール図



個別症例のPFSとOSを示す
スイマープロット図

2024年2月9日公表
CBP501臨床開発計画の修正

冒頭サマリー

CBP501の米国における次相臨床試験予定及び 欧州における臨床第3相試験準備について

当社は、本日開催の臨時取締役会において、

- (1) 米国における次相臨床試験を臨床第2b相試験とし、当面、そのうち1stステージについて開始準備を進めること
- (2) 欧州で開始している臨床第3相試験準備を継続し、これが実現した場合には米国での次相臨床試験を中断または中止して欧州での開発を優先することを決定いたしましたので、お知らせします。

開発のベスト/ワースト*シナリオ 変動まとめ

従前

米国

ベスト

- ✓ 2024年 第3相試験開始
→承認上市目標 2027年
→欧州市場への展開

ワースト

- ✓ 次相試験開始の停滞

欧州

ベスト

- 米国承認後の市場展開

今回の発表

米国

ベスト

1. 欧州第3相試験の結果をもとに2027年新薬承認申請・上市
2. **2024年 第2b相試験開始** → 2026年 第3相試験開始
→承認・上市 2029~30年目標 → 欧州市場への展開

ワースト

- ✓ **2024年 第2b相試験開始** → 第3相試験開始の停滞

欧州

ベスト

- ✓ 2024年 第3相試験開始
→承認・上市目標 2027年 → 米国市場への展開

ワースト

- ✓ 臨床試験開始停滞

*臨床試験失敗リスク・第3相試験成功後の承認リスクはすべてのケースに存在します。今回の発表による変動はないため、このまとめでは省略しています。

協議長期化の最大要因：多剤併用試験における各薬剤の寄与

- 多剤併用における各薬剤の寄与を証明する基準は、FDAの中でも確立されていない
 - ✓ 承認済みの2剤+別の適応で承認されている1剤を加えた3剤併用が追加1剤の寄与を統計的に証明せず承認されたケースも存在
 - ✓ 必ずしも2剤併用と3剤併用の比較試験が常に求められるわけではない
 - CBP501の3剤併用の場合、各薬剤の寄与を証明するのは困難
 1. CBP501+シスプラチン・・・第2相試験で無効による早期中止。判断済み
 2. CBP501+ニボルマブ・・・過去の臨床試験データなどから不要と判断済み
 3. シスプラチン+ニボルマブ
 - ・・・第2相試験で主要評価項目不達成、独立の安全性モニタリング委員会の全会一致で試験終了推奨
 - 当社の主張：3剤併用群と医師最適選択群の比較で統計的有意差を証明
 - これに対し米国規制当局からは明確な反応なし。FDAも手探り状態で、協議が長期化
 - 「シスプラチン+ニボルマブ2剤併用を含む3群で試験せよ」「3剤の試験を認めない」どちらもなし
- 結果「規模の小さい2群試験を実施せよ」という中間的な承認に

☒ 選択肢とそれぞれのリスク等

1. 米国規制当局指示に沿い第2b相試験を実施し、その結果をもとに第3相試験へ
 - 費用・期間の長期化（今後の開発総額80億円超、上市目標時期も最速で2029～30年頃に）
 - 第3相試験開始時に再度同じ議論が繰り返されるおそれ
2. 米国規制当局との協議をさらに継続し、米国での第3相試験開始可能性を追求
 - 実現可能性が不透明
 - 結果として実現しなかった場合には上市目標時期が確実に1.よりもさらに長期化する
3. 米国第2b相試験開始承認取得を踏まえ、迅速に米国試験を再開できる準備を整えつつ、欧州での第3相試験開始を目指す
 - 欧州で実施できないケースが考えられる → その場合には1.へ切替え可能
 - 欧州で第3相試験の前に小規模な試験を求められた場合など → 内容次第で米国との比較検討
 - 米国承認獲得は？ → 欧州臨床試験データをもとに米国での追加試験なく承認獲得を目指す

財務上の判断など他の諸要因も踏まえ、私たちは今回**3**を選択しました

🇪🇺 欧州での第3相試験開始を本線とし、念のため米国も準備を進める

➤ 米国：FDAから臨床第2b相試験開始承認受領（2024年2月9日公表）

- 3剤併用投与群・医師最適選択投与群の2群 合計約150～160名*の比較対照試験

*死亡120名までというプロトコールのため、登録予定数は概数です。

- 両群計50名登録で患者登録中断、両群計30名死亡時に中間解析を実施（1stステージ）

✓ 欧州臨床試験が想定どおり進まない場合に備え、1stステージ開始を準備

- 2024年半ばにFPI（最初の患者への投与）可能な状態へ

➤ 欧州：EMAに対する臨床第3相試験開始申請

✓ 2024年早期に申請し協議開始、協議の過程で開始承認見通しを判断

- 状況次第で米国臨床第2b相試験をペンディングし、欧州での開発を本線とする
- 2024年中に試験開始の可能性も

承認・上市目標時期 2027年 は変更ありません

開発のベスト/ワースト*シナリオ 変動まとめ

従前

米国

ベスト

- ✓ 2024年 第3相試験開始
→承認上市目標 2027年
→欧州市場への展開

ワースト

- ✓ 次相試験開始の停滞

欧州

ベスト

- 米国承認後の市場展開

今回の発表

米国

ベスト

1. 欧州第3相試験の結果をもとに2027年新薬承認申請・上市
2. 2024年 第2b相試験開始 → 2026年 第3相試験開始
→承認・上市 2029~30年目標 → 欧州市場への展開

ワースト

- ✓ 2024年 第2b相試験開始 → 第3相試験開始の停滞

欧州

ベスト

- ✓ 2024年 第3相試験開始
→承認・上市目標 2027年 → 米国市場への展開

ワースト

- ✓ 臨床試験開始停滞

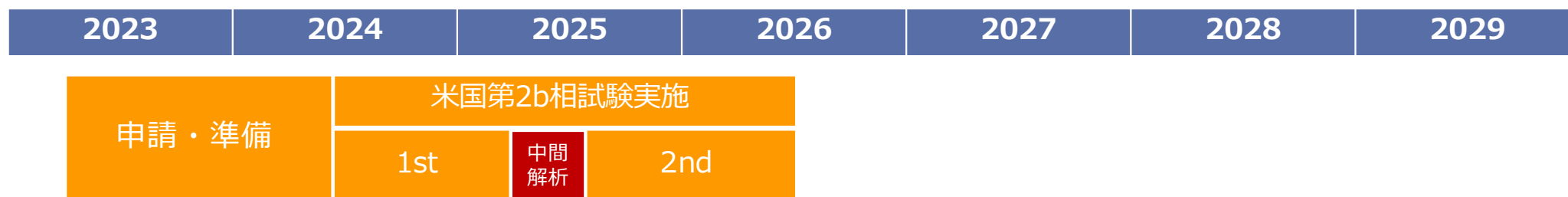
地域を移して
ベストシナリオ維持

ワーストシナリオの底上げ

*臨床試験失敗リスク・第3相試験成功後の承認リスクはすべてのケースに存在します。今回変動したわけではないため、このまとめでは省略しています。

どのように考えて
臨床開発方針を選択したか

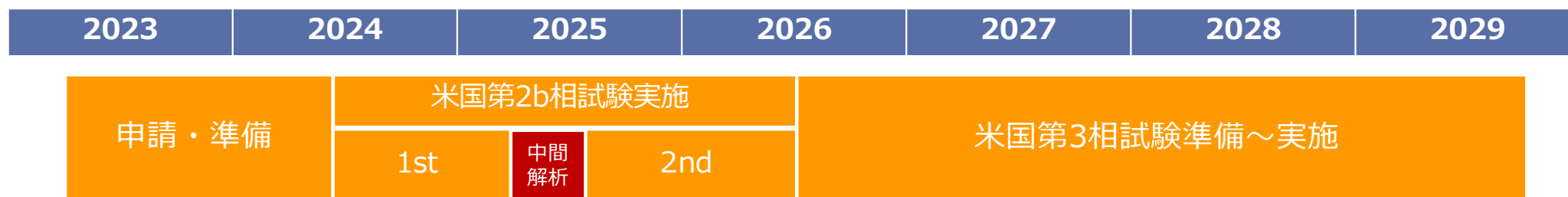
FDA臨床第2b相試験開始承認を受領



- ここまでは進められる
= ベストシナリオからの後退 + **ワーストシナリオの底上げ確保**

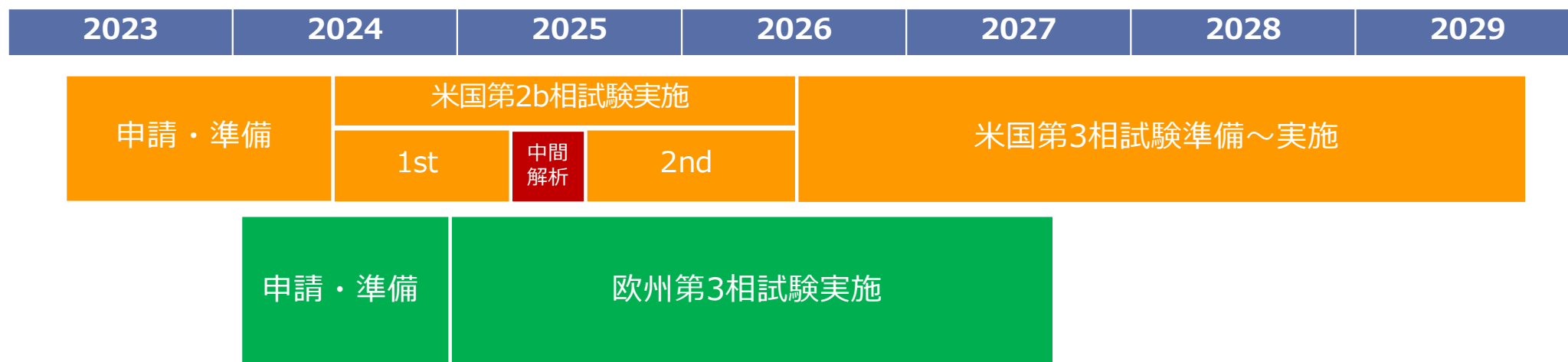
臨床開発方針選択の所与の条件

初期の目標（2027年までに上市）の実現可能性はどうか



- 米国第2b相試験の延長線上のみでは…
 - ✓ 上市目標時期が大きく延期
 - ✓ 必要資金も増大
- 中長期的な企業価値を毀損しないためには

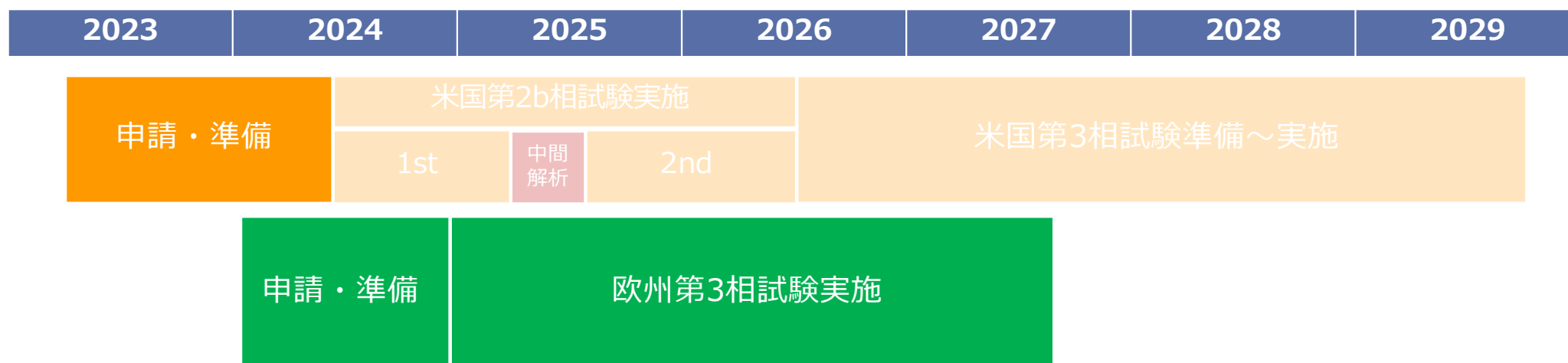
欧州臨床第3相試験実現の可能性 = ベストシナリオの維持



- 欧州臨床試験の実現可能性が上昇した契機
 - ✓ ESMO2023発表への反応
 - ✓ 有力医師/研究者からのサポート申し出

欧州申請の不確実性への対応 場合分け1

欧州の申請が順調に進むと見込まれる場合

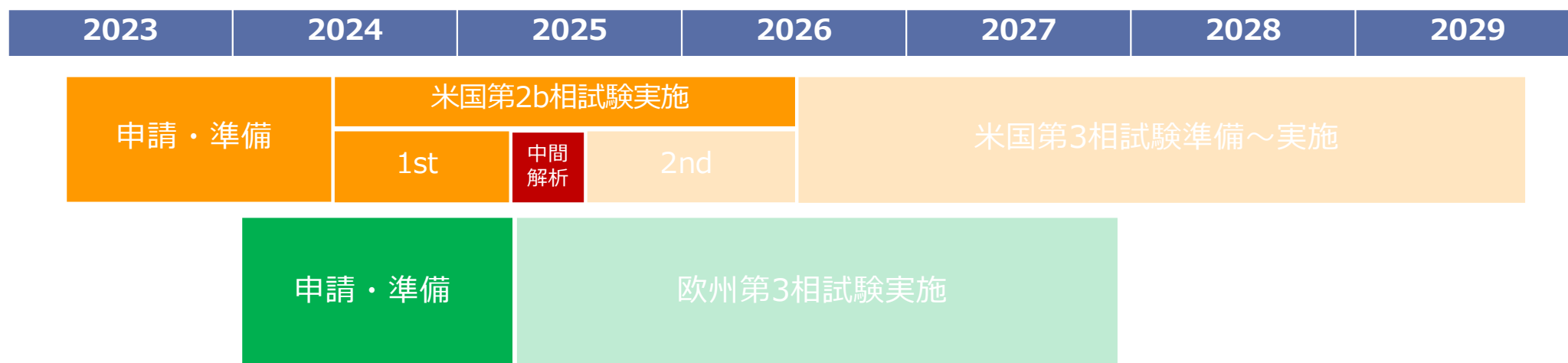


- 米国第2b相を準備終了時点でペンディング。実施回避も
- 初期の目標（2027年までに上市）の実現可能性を維持

これをベストシナリオと設定して今後の活動を進めます

欧州申請の不確実性への対応 場合分け2

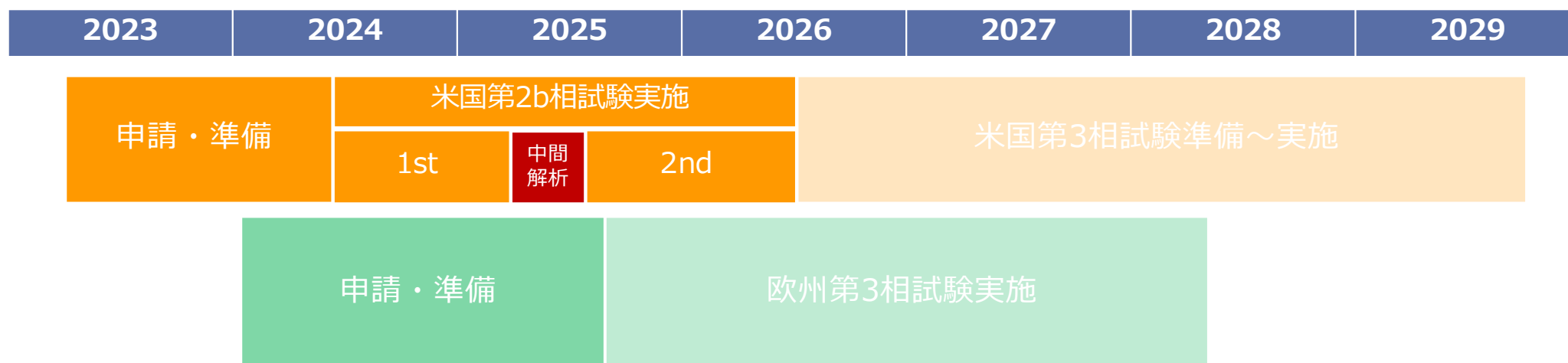
欧州申請・準備がやや長期化すると見込まれる場合



- 米国第2b相試験を1stステージ（中間解析）まで進める
 - ✓ その間も欧州申請・準備の推移を見て機動的な選択

欧州申請の不確実性への対応 場合分け3

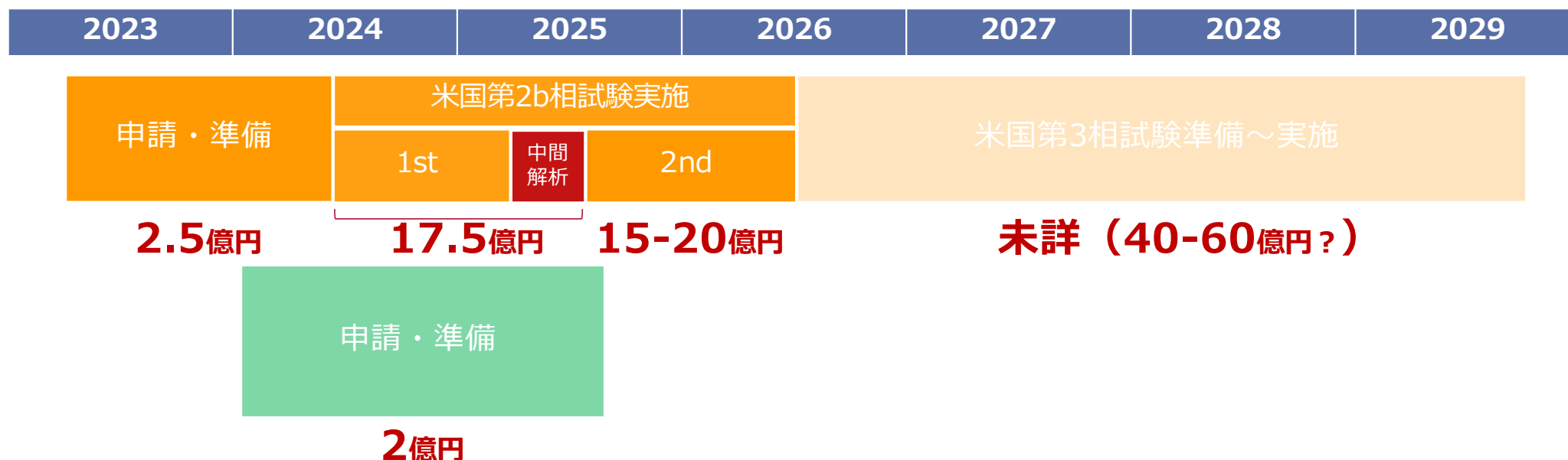
欧州申請・準備が順調に進まない場合



- 欧州当局との協議は継続しつつ、米国第2b相試験を続行
 - ✓ 将来、米国第3相試験と欧州第3相試験の選択になる可能性も

今後発生する費用の見通し

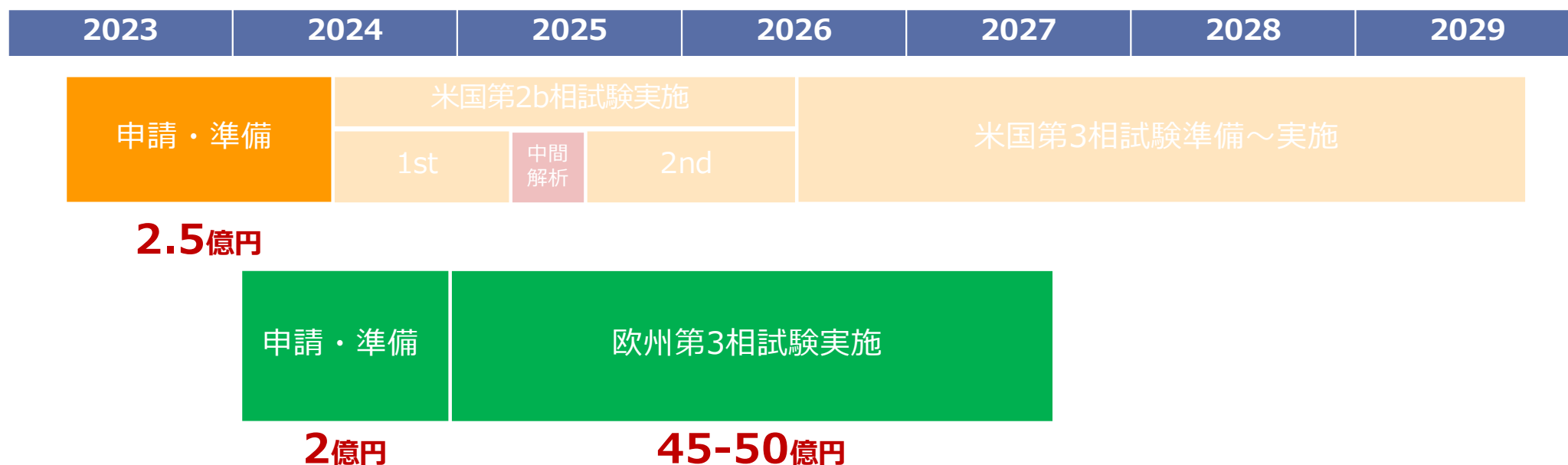
米国で臨床試験を続行する場合



- 場合分け2 (中間解析まで) の場合で約22億円
- 場合分け3 (2ndステージ終了まで) の場合で約40億円、第3相を含めると80億円超

今後発生する費用の見通し

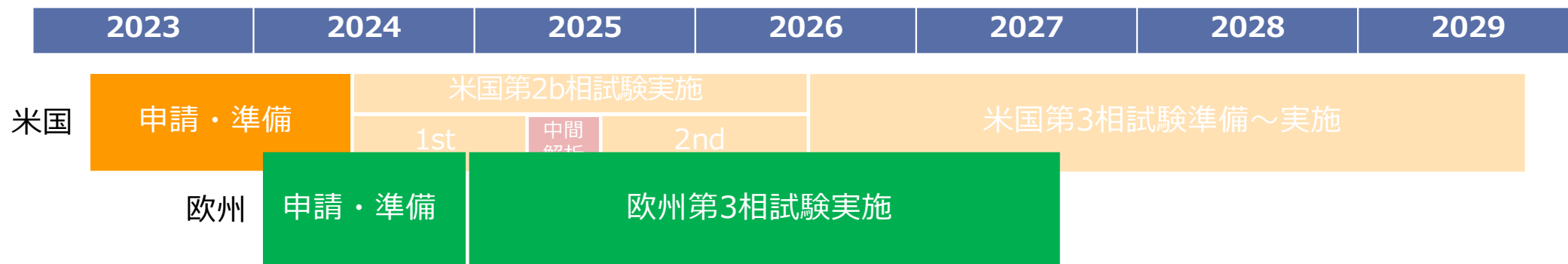
ベストシナリオの場合 *欧州臨床試験費用については今後変動の可能性があります



ベストシナリオの場合約55億円。
2023年ファイナンス時の想定開発費総額見通しから大きな変動なし

免疫着火剤CBP501：欧州臨床第3相試験へ

従前の目標（2027年までに承認・上市）の実現可能性を欧州シナリオで堅持



当面の活動

- ✓ 欧州規制当局EMAへの臨床試験開始申請・協議対応
- ✓ 欧州臨床試験開始の不確実性に備えた「保険」として、米国第2b相試験開始直前までの準備を進めておく
- ✓ 進捗に伴う企業価値上昇による資金調達（既発行新株予約権の行使促進）

CBP501 パイプライン価値試算のめやす

一般的なパイプライン価値試算の考え方

- ✓ 一般に現在価値は、将来の一定期間の純利益やキャッシュフローを、投資家の想定する割引率で割り戻して算出します。
- ✓ この資料の市場・末端販売高・ロイヤルティの想定等は、上記の方法で試算していただくためのめやすとしてお示ししているものです。
- 創薬パイプライン価値の試算にあたっては、成功確率、成功までに要する期間、必要な投資額（臨床試験費用）等にご留意いただく必要があります。

CBP501の想定市場

- 2024年2月に臨床開発計画の本線を欧州に切り替える旨を公表しましたが、ベストシナリオにおいては欧州臨床第3相試験の結果をもとに欧州だけでなく米国にも同時申請を想定しています。
このため、本資料におけるCBP501の想定市場は米国のまま変更していません。

CBP501のパイプライン価値 (1)

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（次頁参照）、CBP501はトップランナーの位置にいる
 - ✓ 2022年1月 Tyme Technologies
「開発品SM-88、膵臓がん1次/2次治療で生存延長なし」 = 試験失敗
 - ✓ 2021年6月 Tyme Technologies
「開発品SM-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のパイプライン価値 (2)

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	590	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	失敗 (2022年1月)
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	Halozyyme	PEGPH20	ヒアルロン酸分解	FOLFIRINOX	1次	492	3	失敗 (2019年11月)
NCT02923921	EliLilly	AM0010	PEG-IL10	FOLFOX	2次	566	3	失敗 (2019年10月)
NCT01373164	EliLilly	LY2157299	TGFβ阻害	Gemcitabine	2/3次	170	1b/2	この適応の開発中止
NCT04390399	ImmunityBio	N-803 PD-L1 t-haNK	IL-15融合蛋白 加工処理したNK細胞	Nab-paclitaxelなど	1~3次	328	2	膀胱がん承認されず (2023年5月)

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

※ClinicalTrials.govや報道記事等をもとにフェーズ2以降の開発品を掲載
※ImmunityBio N-803はあくまで参考として掲載。細胞療法できわめて高額な治療費用が予測されるなど、単純な比較は困難

CBP501のパイプライン価値 (3)

上市後の市場規模（一般的な検討要素をもとに当社試算）

➤ 当初の市場と想定される米国のみで**ピーク時9億ドル**の収益を見込む

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	2万ドル前後* 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とAmerican Society of Health-System Pharmacists (ASHP)「2週間に1回投与・1回あたり薬剤費10,000ドル前後」

CBP501のパイプライン価値 (4)

CBP501のパイプライン価値試算のめやす

➤ 上市後一定期間の末端販売高の推移想定

(単位：億ドル)

	2027+X(Y1)	Y2	Y3	Y4	Y5	Y6
末端販売高	4.0	5.0	5.7	6.2	7.0	7.5

※目標シナリオでの上市（2027年）からX年経過し、市場浸透が進むもののピークには未だ達しない6年間を想定したものです。

➤ ロイヤルティ

	Y5	ピーク時
ロイヤルティ%	開発最終段階での提携。40～80%を目指す	
ロイヤルティ収入	2.8～5.6	3.6～7.2

※開発最終段階で米国において提携先に販売委託、ロイヤリティ収入・現金収入の獲得を想定したものです。
 ※適応や地域などの部分的導出や、原薬・最終製剤を提供するなどの付与契約等によっても変動の可能性があります。

CBP501のパイプライン価値 (5)

初期適応は小さいものの長期的な投与対象患者数 (適応・地域拡大後) は大きく、
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					

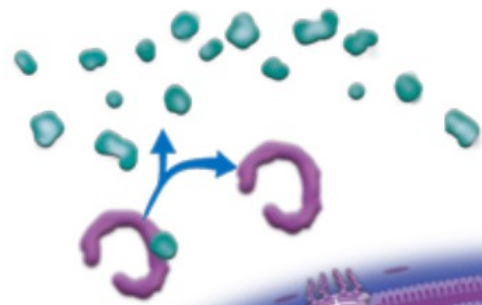
↓
適応拡大

※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
(出入り口)

XPO1 (exportin 1)

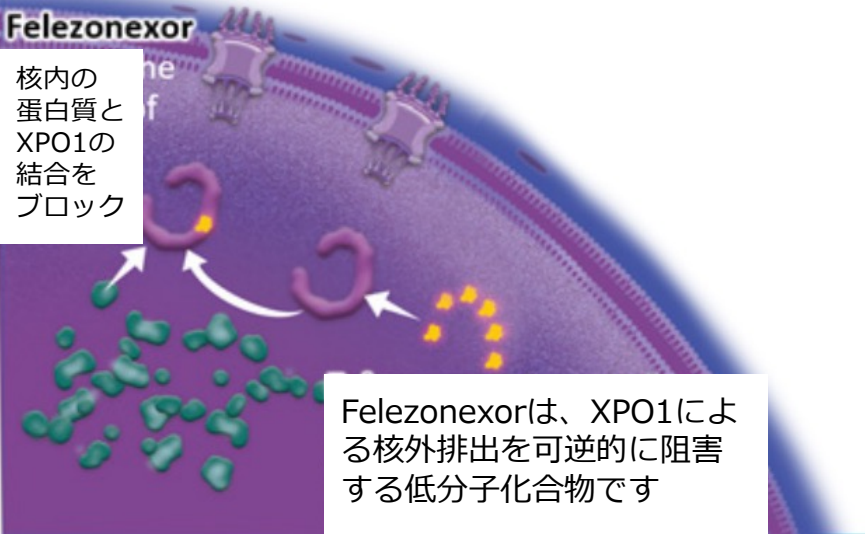
XPO1は、がん抑制因子、細胞周期阻害因子、転写因子など、がん細胞にとって都合の悪いさまざまな蛋白質を核外へ運び出しています

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

☒ 臨床第1相試験を有望なデータとともに終了

☒ 「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

- ✓ 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た
 - 大腸がん
 - KRAS変異がん
 - 腎臓がん

CBS9106のライセンス内容

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～非臨床試験段階のプロジェクトの状況

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**

- ✓ 日本大学医学部との研究連携 (2023年9月14日公表) 期間延長・内容拡充 (2024年1月25日公表)
- ✓ 前臨床試験に向けて準備を開始する意思決定 (2023年10月25日公表)

➤ **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。日本で特許査定受領 (2023年6月6日公表)

➤ **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から抗がん剤治療の結果を予測

論文・学会発表

CBP501

- **臨床第2相試験データ = 臨床試験継続価値の根拠**
["Multicenter, randomized, parallel group, phase II study to establish the efficacy and safety of CBP501, cisplatin, and nivolumab for ≥ third-line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC <10,000/mm³"](#) - ESMO 2023, Poster 1625P
- **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」の証明（ヒトでの証明）**
["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**
"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

開発パイプラインに関連する特許

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 (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 (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 (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 (2009/031040 米国・欧州主要国*・日本で成立済)
 - ✓ 基本的な物質特許

IDO/TDO阻害剤

- IDO/TDO阻害剤 (W02019078246A1 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

➤ 開発資金の確保

- ✓ CBP501：資本市場からの資金調達による「創薬パイプライン型」開発を志向しつつ、必要に応じて提携パートナーの獲得も模索。資本市場からの資金調達には不確実性が伴う
- ✓ 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

- ✓ CBT005、CBP-A08、IDO/TDO二重阻害剤、NEXTプロジェクトなど
- ✓ 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

2024年6月期第2四半期 決算・財務の状況

2024年6月期2Qの業績 (1)損益計算書

2024年6月期第2四半期損益計算書のポイント

- 事業収益計上なし
- CBP501臨床開発を中心に研究開発先行投資
 - ✓ 2Q累計事業費用387百万円の内訳：
基礎研究費*1 92百万円（前年2Q 85百万円） 臨床開発費*2 148百万円（同339百万円） 販管費146百万円（同125百万円）
基礎研究費・販管費に大きな変動なし。臨床開発費は第2相費用減少、米国第2b相と欧州第3相の準備費用支出開始
 - ✓ 営業外費用（為替差損・株式交付費）

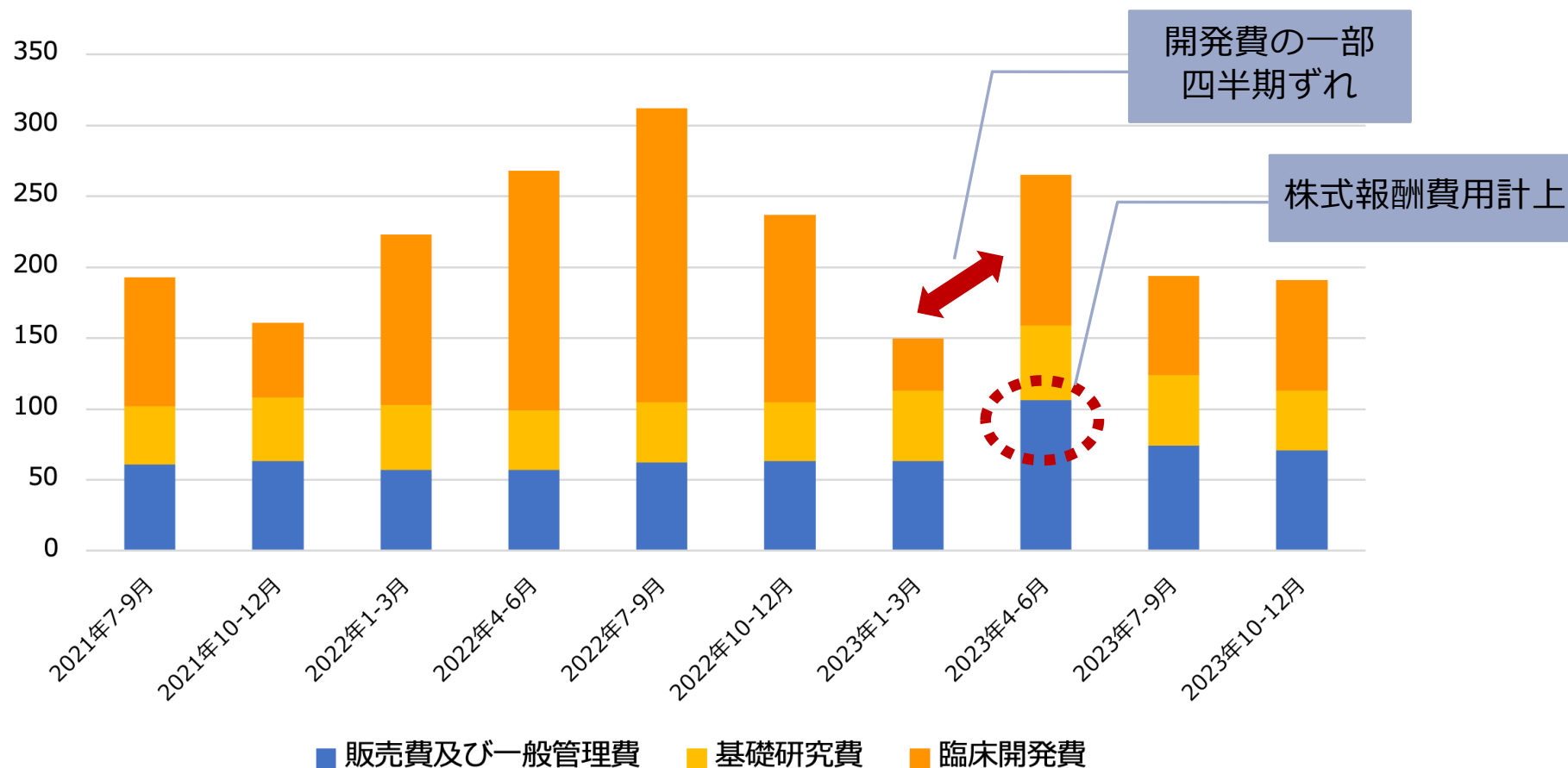
	2024年6月期2Q	前年2Q比	注
事業収益（売上高）	— 百万円		
営業利益	△387 百万円	損失減少 164 百万円	前年は臨床第2相試験支出のピーク
経常利益	△393 百万円	損失減少 169 百万円	
四半期純利益	△393 百万円	損失減少 169 百万円	

*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。

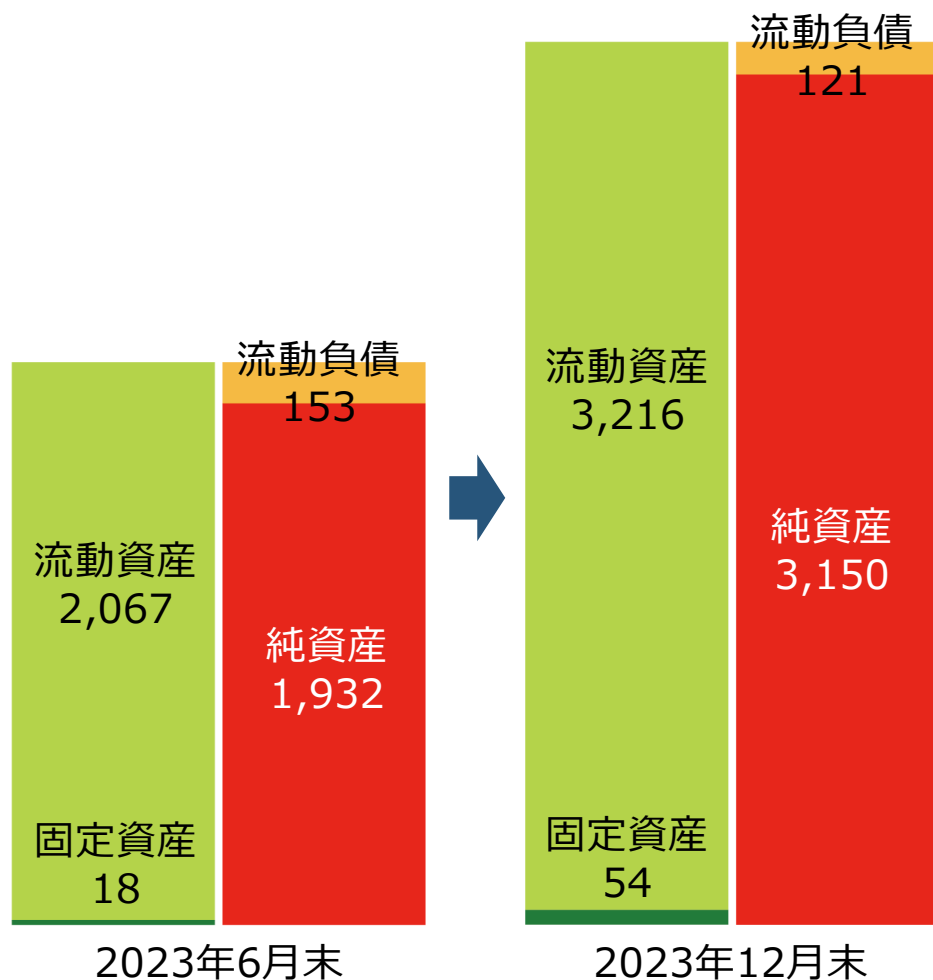
*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106・CBT005に関する費用はありません。

事業費用の四半期推移

四半期会計期間の事業費用推移 (単位百万円)



2024年6月期2Qの業績 (2)貸借対照表の推移 (単位：百万円)



2023年6月期末からの主な変化

➤ 流動資産

- ✓ 現預金 1,617 → 2,780
 - (-) 四半期純損失
 - (+) 新株予約権行使による資金調達

✓ 前渡金 367 → 335

- 米国臨床試験準備の一部

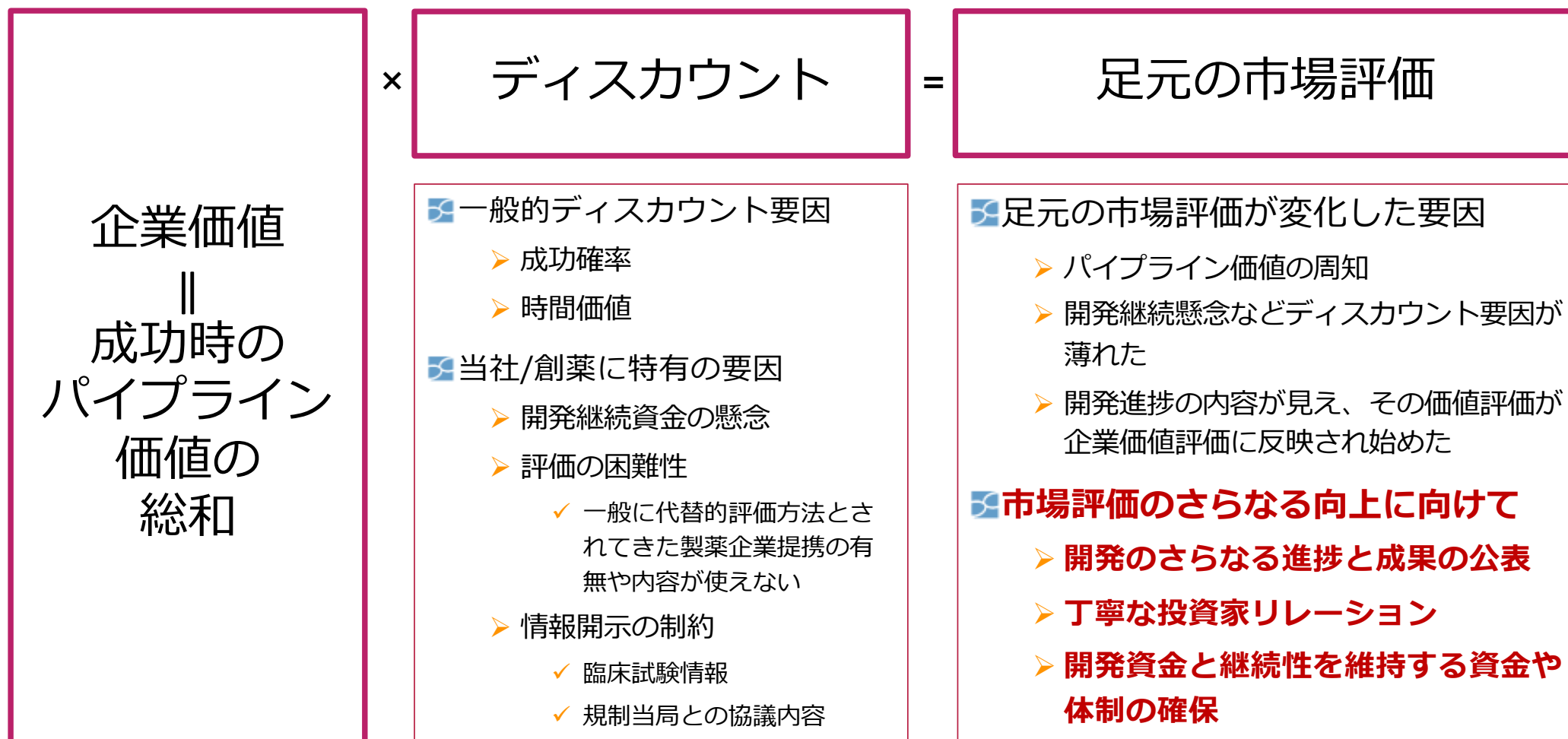
➤ 純資産

✓ 株主資本合計 1,898 → 3,120

- 新株予約権行使による資金調達の進捗

*百万円未満切り捨て表示のため合計などが一部一致しません。

企業価値評価向上への施策



第三者割当新株発行と新株予約権2種の組み合わせ

- 7億円を超える新株発行で、確実な資金をアップフロント調達
- 2種の新株予約権で、株価へのインパクトを抑制しつつ約54億円の段階的調達を目指す

2種類の新株予約権

- ✓ 第19回新株予約権（行使価額修正条項付き）：確実性の高い資金調達を図る
- ✓ 第20回新株予約権（当初行使価額固定、行使価額プレミアム）：より有利な資金調達を目指す
 - 発行日の1年後以降、行使価額修正型へ自動的に切替わります
- ✓ いずれも最大行使株式数は固定されており、株価の動向にかかわらず希薄化の規模は限定的

CBP501は自社で開発を進める**創薬パイプライン型**へ

- 第3相試験完遂までの資金を製薬企業等でなく機関投資家・株式市場から獲得へ
 - ✓ リスクテイク・開発主導権確保・リターン最大化を図る
- 地域や適応で区切った部分導出やその他のアライアンスでアップサイド展開も追求

資金使途及び支出予定時期 * 2023年5月資料をそのまま再掲

CBP501臨床第3相試験完遂までの費用と運営資金に充当

具体的な使途	金額 (百万円)	支出予定時期	詳細
① CBP501 臨床第3相試験費用	5,500	2023年5月 ~2025年12月	<p>対象疾患： 膵臓がん3次治療 試験形式： 多施設無作為化オープンラベル比較対照試験 被験者数： 合計300名程度 主要評価項目： 全生存期間（OS）</p> <p style="text-align: right;">*詳細内容は今後変更の可能性あります。</p> <p>➤ 上記内容を想定した第3相試験費用見通し 55~65億円 （そのうち約10億円は前回ファイナンスで調達済み） ➤ 差額約55億円を今回のファイナンスで調達する計画</p>
② 運営資金 (基礎研究費用*、 販売費及び一般管理費)	346	2023年7月 ~2024年4月	<p>継続的な基礎研究に係る諸費用 人件費、外注費、事務用消耗品費等の販売費及び一般管理費</p> <p>➤ 2024年5月以降の運営資金は既存の現預金を充当</p>
合計金額	5,846		

*基礎研究費用には、前臨床試験以前の段階のパイプラインであるCBT005、CBP-A08、IDO/TDO二重阻害剤等に関する研究費用が含まれています。

新株発行、第19回・20回新株予約権発行の概要

割当先	Long Corridor Asset Management (LCAM) が一任契約に基づき運用するファンド (LCAO, MAP246)
想定調達額	5,846百万円 (発行諸費用325百万円を除く)
想定潜在希薄化率	合計23.69%

新株式の発行

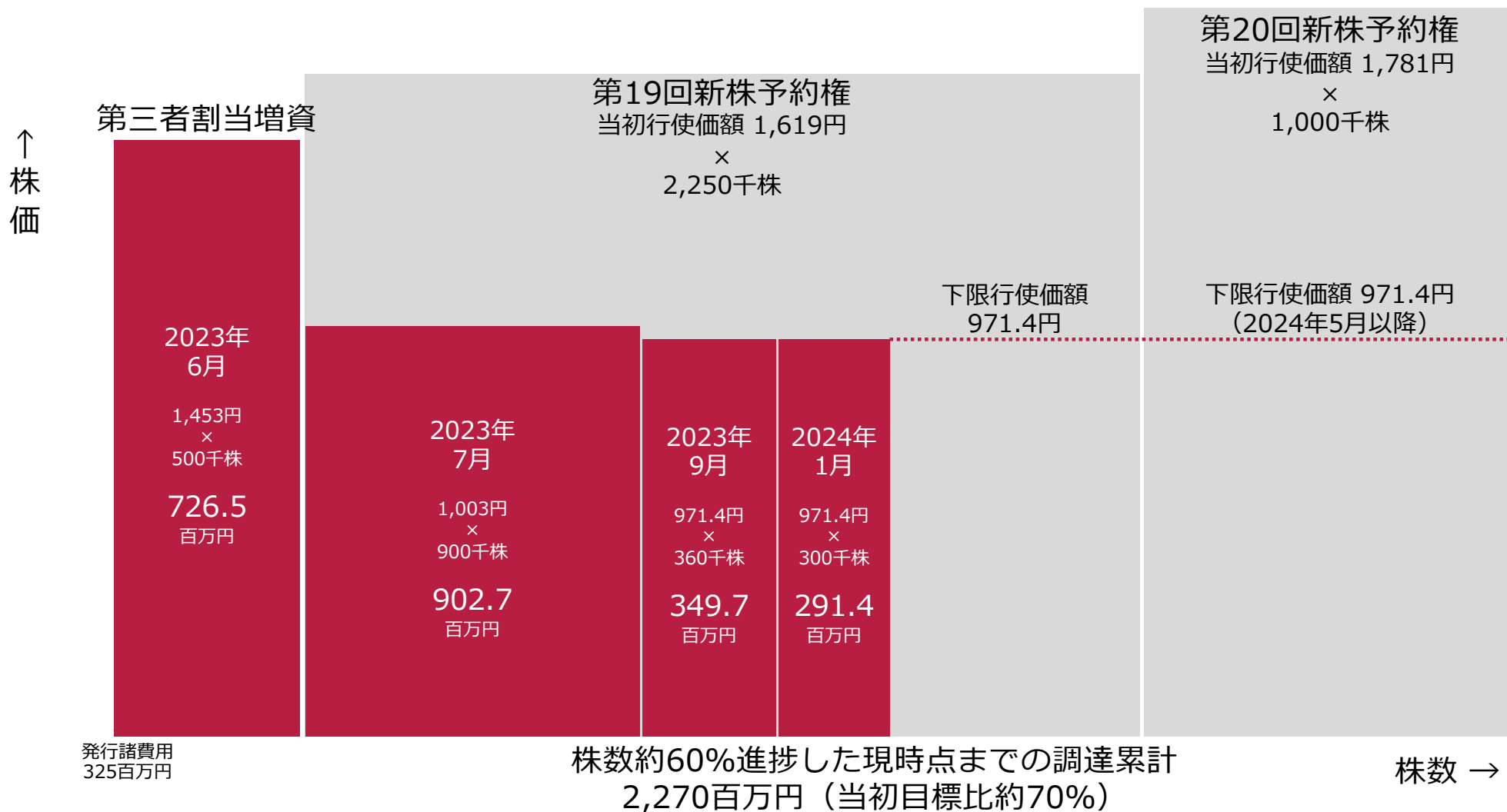
- 発行価額 1株あたり1,458円
- 普通株式 500,000株 (729百万円相当)
- 払込期日 2023年6月2日

手法・諸条件

第19回・20回新株予約権の発行

- 発行価額総額 19百万円
- 当初行使価額
第19回 1,619円 (= 発行決議日直前取引日の終値×100% / 行使価額修正条項付)
第20回 1,781円 (= 発行決議日直前取引日の終値×110% / 発行日1年後に行使価額修正型へ切替)
- 潜在株式数 3,250,000株 (当初行使価額ベース5,423百万円相当)
- 行使期間 2023年6月5日から2025年6月4日まで

2023年ファイナンス 現在までの調達と今後



キャンバスを知る情報源

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/>（不定期更新）
- 📄 X（旧Twitter）公式アカウント <https://twitter.com/canbas4575>
 - フォロワー6,000人突破。主に個人投資家向けの情報発信/Q&Aチャネルとして定着
- 📄 アナリストレポート
 - フェアリサーチ 2024年2月19日最新版『[CBP501欧州での開発に活路を求める](#)』
 - シェアードリサーチ（随時更新） <https://sharedresearch.jp/ja/4575>
- 📄 TV・インターネット番組等出演
 - アイロゴス主催 櫻井英明WEB株式講演会&企業IRセミナー [2024年2月17日配信](#)（河邊・加登住登壇）
 - 2024年6月期第2四半期決算説明会（2月15日開催） [テキスト](#)

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