



2024年6月期決算説明会

2024年8月20日

株式会社キャンバス
(東証グロース 4575)

会社概要・強み・事業モデル

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）



キャンパスの強み 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
CBT005 NEXTプロジェクトから創出 がんの「治癒」を目指す 新たな免疫系抗がん剤	前臨床試験準備				日本大学
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				
IDO/TDO阻害剤 ほか※					静岡県立大学 ほか

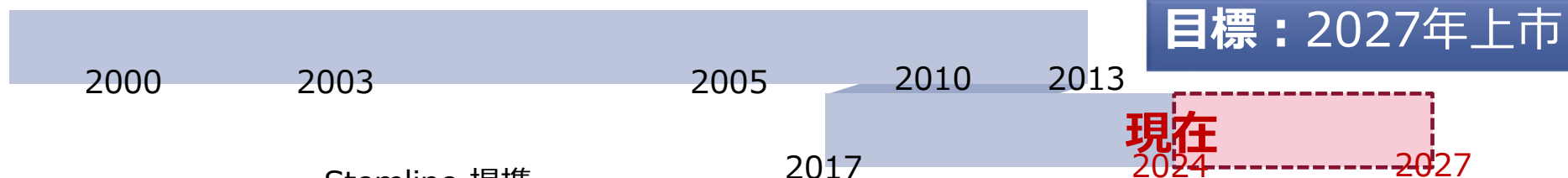
※ 上記のほか、がん免疫領域で広く基礎研究を展開しています。

※ 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）

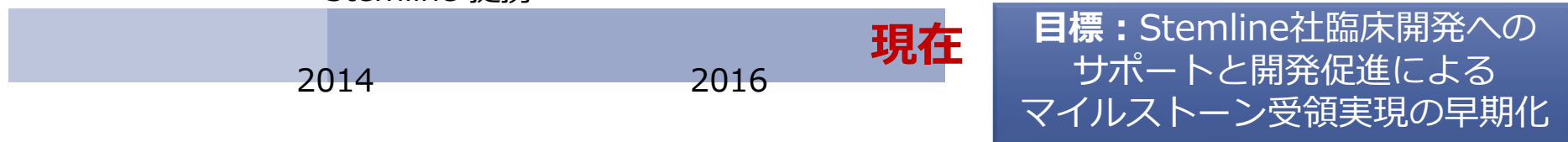
各パイプラインの歩み・現状・目標



CBP501



CBS9106



CBT005

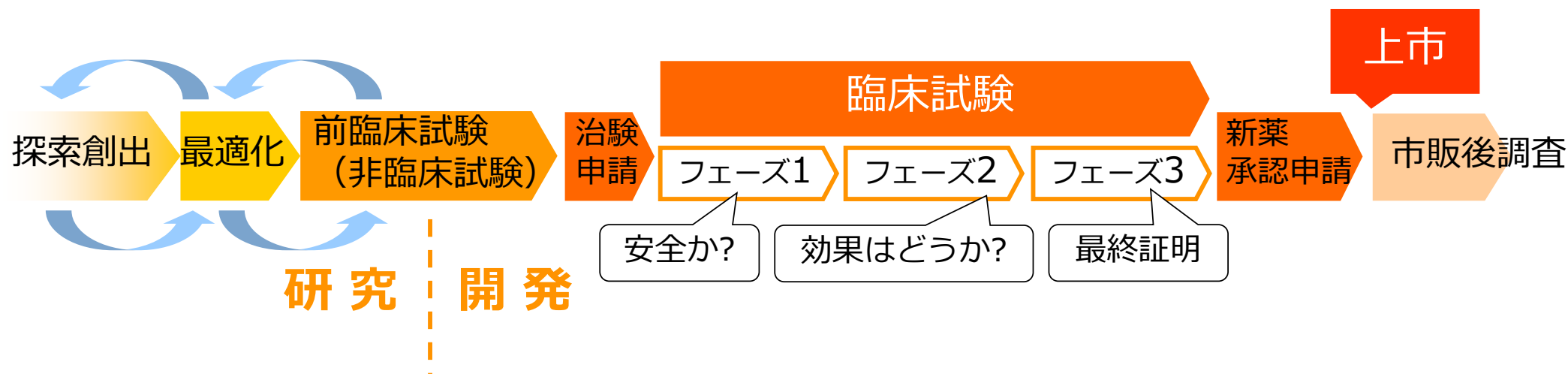


CBP-A08



一般的な創薬の流れと開発投資・時間軸

「創薬」の流れ



← 一般に10~15年。それ以上のものも →

研究開発投資のキャッシュフロー (模式図)

一般に数百億円以上

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

- 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。
- 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 \equiv 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

- 臨床第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**
- 欧州臨床腫瘍学会（ESMO）で臨床第2相試験結果を発表（2023年10月24日公表）
- 米国FDAとの協議の結果、臨床第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臨床第3相試験を計画（2024年2月9日公表）

- 欧州臨床第3相試験開始に向けた欧州規制当局EMAとの協議開始
- 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)

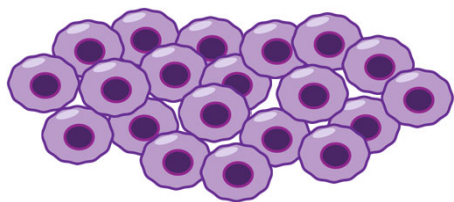
- 提携先Stemline社による米国臨床第1相試験完了（2022年2月14日）

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

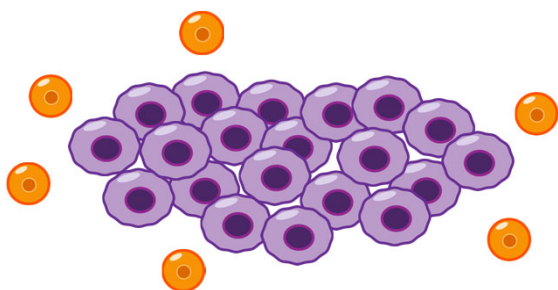
攻撃するための
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に
入り込めていない

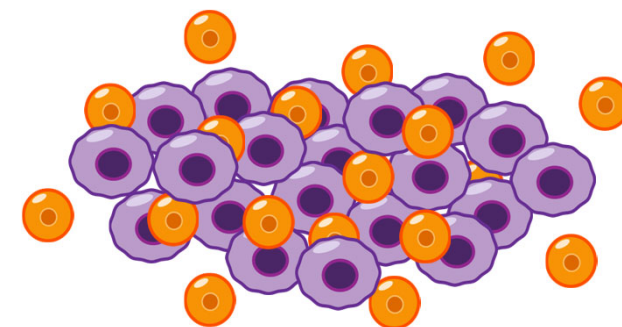
免疫排除



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

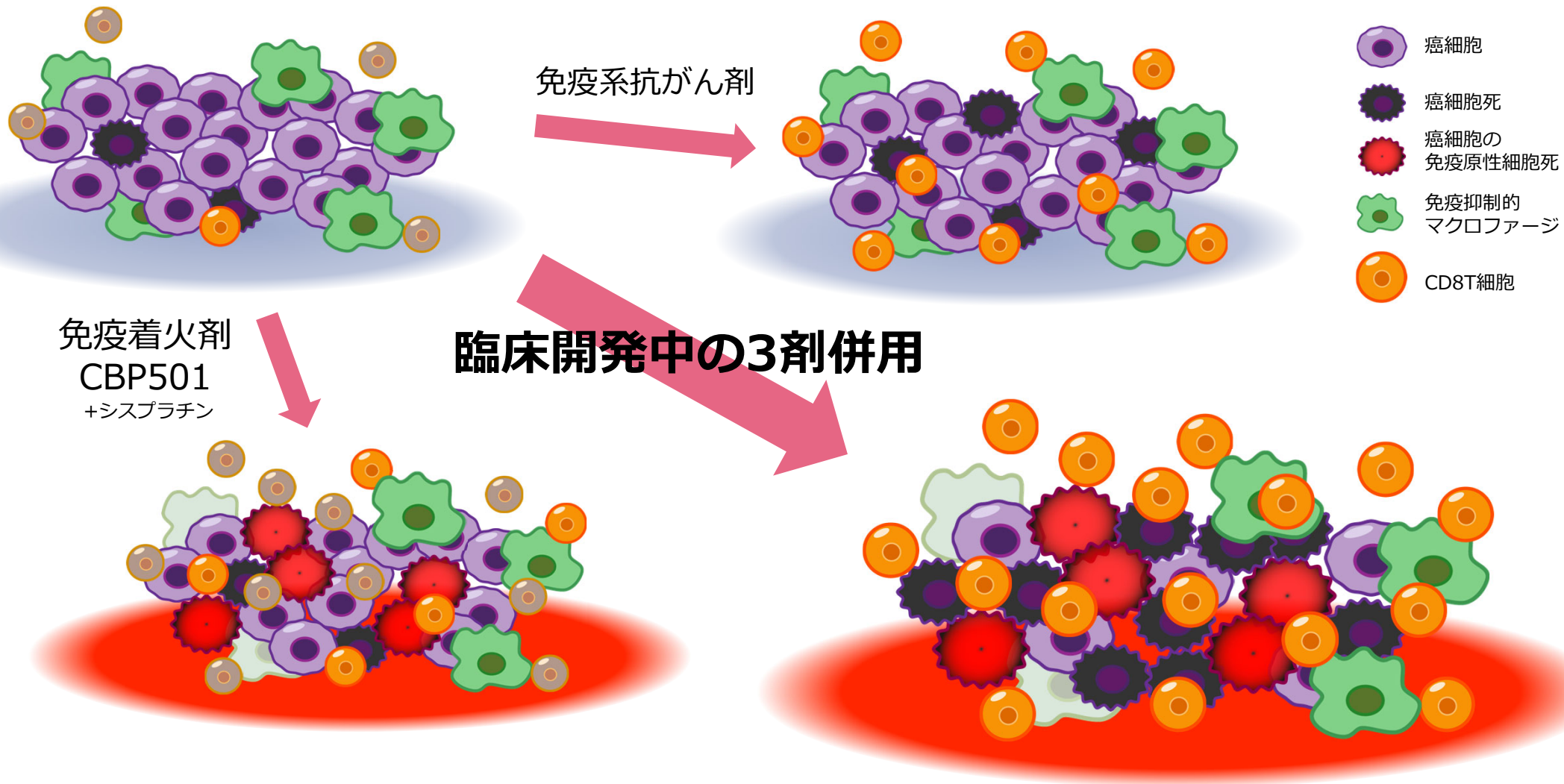
T細胞が十分いて
がんを攻撃できる

免疫ホット



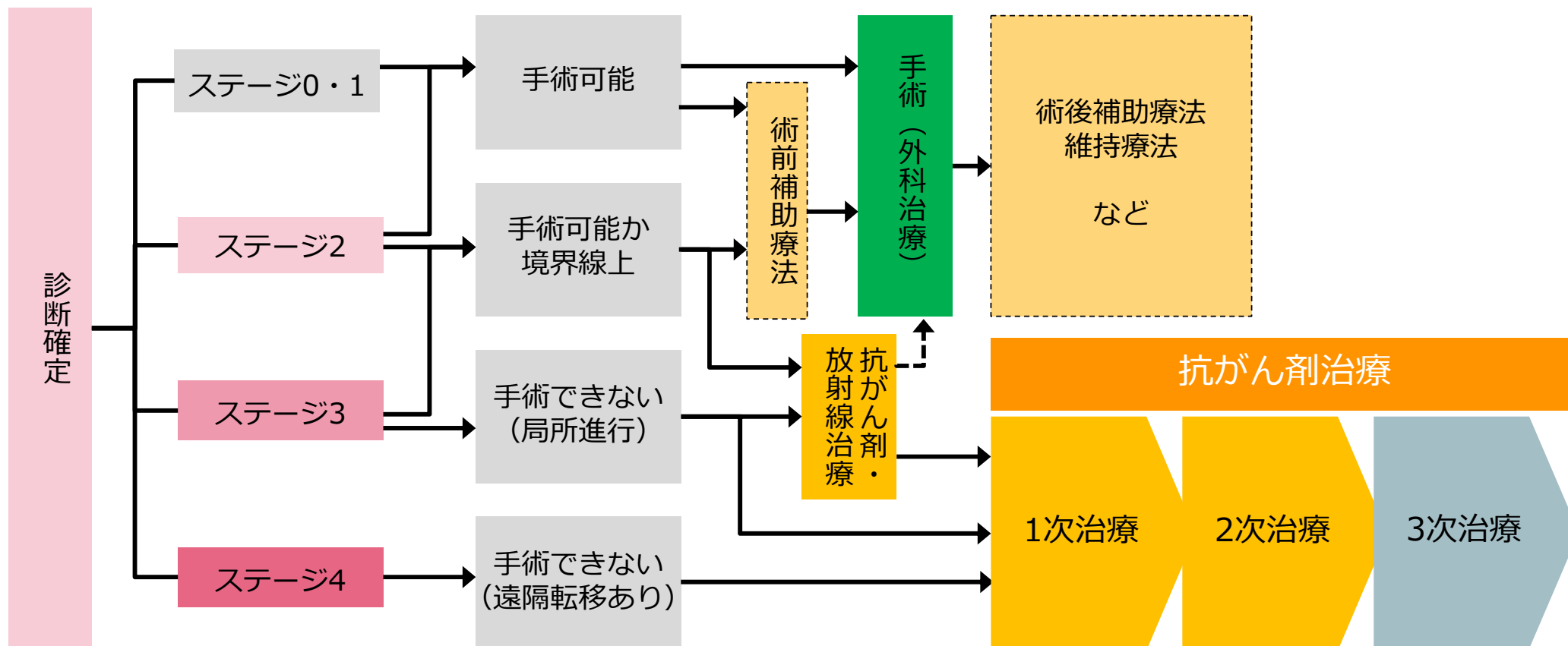
癌細胞 CD8T細胞

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

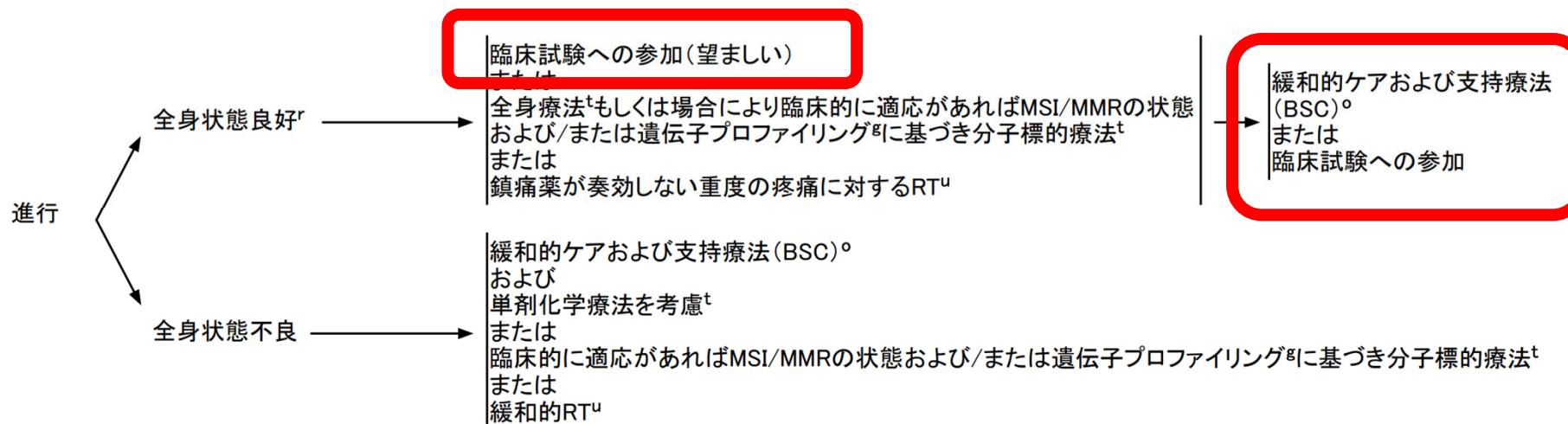


NCCN Guidelines Version 2.2021 膵癌（腺癌）

[ガイドライン索引](#)
[目次](#)
[考察](#)

進行

二次以降の治療^s



CBP501臨床第2相試験結果を
学会発表 (欧州臨床腫瘍学会 : ESMO)
論文発表 (EUROPEAN JOURNAL OF CANCER)

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・マドリード)

FPN# 1625P

Multicenter, randomized, parallel group, phase 2 study to establish the efficacy and safety of CBP501, cisplatin, and nivolumab for ≥3rd line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC <10,000/mm³

T. Enzler¹, A. Nguyen², J. Mislleh³, 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; ⁴Oncology, Texas Oncology Austin, Austin, TX, USA; ⁵Medical Oncology, Oncology Hematology Care Inc., Cincinnati, OH, USA; ⁶Oncology, Texas Oncology San Antonio, San Antonio, TX, USA; ⁷Medical Oncology Department, Texas Oncology - Baylor Sammons Cancer Center, Dallas, TX, USA; ⁸Oncology, Illinois Cancer Specialists, Arlington Heights, IL, USA; ⁹Oncology, Minnesota Oncology, Minneapolis, MN, USA; ¹⁰Oncology, University of Colorado Cancer Center Anschutz Cancer Pavilion, Aurora, CO, USA; ¹¹Oncology, Texas Oncology-Tyler, Tyler, TX, USA; ¹²Oncology, Northwest Medical Specialties, Tacoma, WA, USA; ¹³Oncology, Ochsner Clinic Foundation, New Orleans, LA, USA; ¹⁴Oncology, University of Michigan Health System, Ann Arbor, MI, USA; ¹⁵Oncology, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA; ¹⁶Oncology, Mary Crowley Cancer Research Center, Dallas, TX, USA; ¹⁷Oncology, CanBas Co., Ltd., Numazu City, Shizuoka Pref., Japan; ¹⁸Medical Affairs, Veristat LLC, Southborough, MA, USA; ¹⁹Global 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 ≥3rd 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 interim objective response rate (COR/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 ≤1 patient was progression-free at 3 months, the treatment group was stopped for futility. If ≥4 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 91 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 (1.18-4.47)	1.7 (1.42-2.80)
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) (2.81-60.01)	0 (0.00-33.63)	0 (0.00-33.63)	0 (0.00) (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 (0.00) (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*, days (95% CI)	124.5 (107.0-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	124.5 (107.0-NA)

* 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)
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)	8 (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)	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)	0	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

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;14(1):141. doi: 10.1186/s13014-019-1345-6. PMID: 31399068.

FUNDING: CanBas Co., Ltd.

DISCLOSURES:

AstraZeneca, BioMed Valley Discoveries, Angen, Taiho Oncology, NeoImmuneTech, Abbvie, Hoosier Cancer Research Network, Exelixis, CanBas, Arcus Biociences, Agenus, Tvardi, ECOG-ACRIN.

CONTACT INFORMATION

Corresponding authors emails:
 Dr. Thomas Enzler (tanzler@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

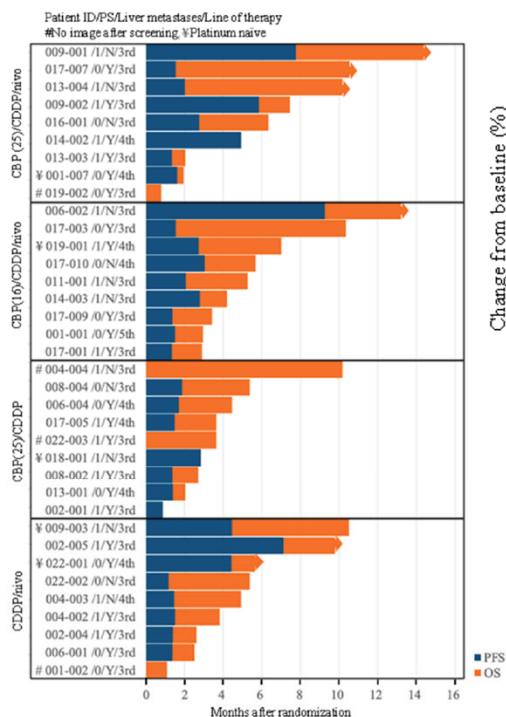
- 主要評価項目 3ヶ月無増悪生存率
 - ✓ 第1群（3剤併用・CBP501 25mg）第2群（3剤併用・CBP501 16mg）で達成
 - ✓ 良好な結果を受け、安全性モニタリング委員会はステージ2に進まないことを推奨
- 副次的評価項目（無増悪生存・客観的奏効率・病勢コントロール率・奏効期間・全生存・安全性）
 - ✓ これらに関する解説は[当社ブログ記事](#)（2023年10月24日）をご参照ください
- 結論

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

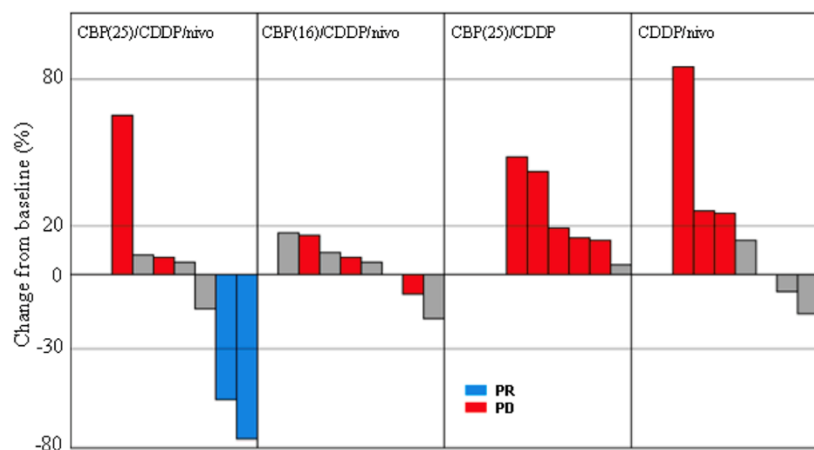
CBP501臨床第2相試験データ論文発表

European Journal of Cancer論文で新たに公表された図表

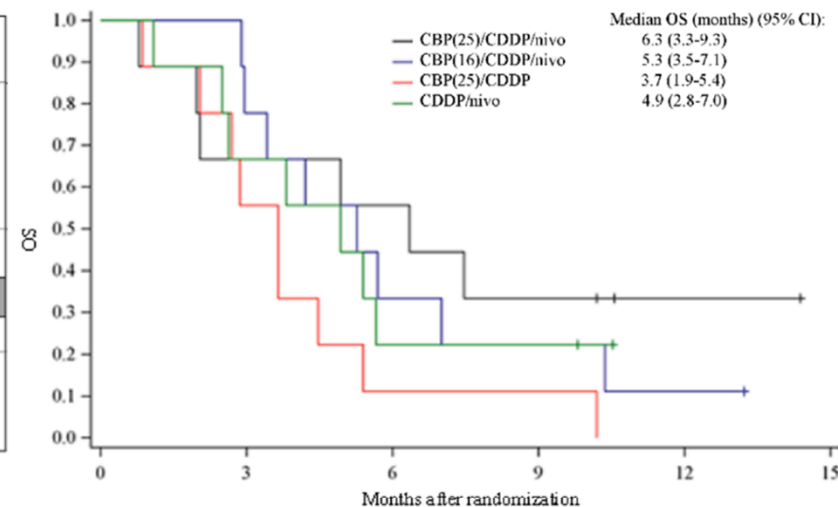
■ 個別症例のPFSとOSを示すスワイマープロット図



■ 腫瘍の増大/縮小を示すウォーターフォール図



■ 各群のOSの状況を示す生存曲線

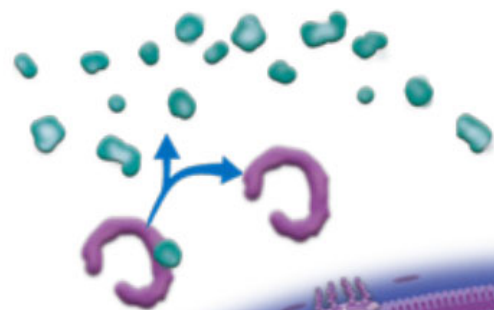


これらデータの解説は当社ウェブサイトのブログ記事
<https://www.canbas.co.jp/post-3525/> をご参照ください

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)

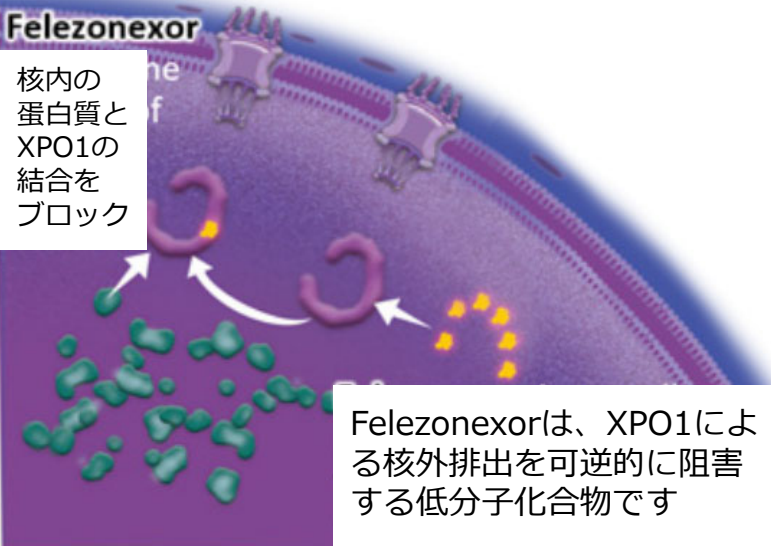
XPO1は、がん抑制因子、細胞周期阻害因子、転写因子など、がん細胞にとって都合の悪いさまざまな蛋白質を核外へ運び出しています

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

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。

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**

- ✓ 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

2024年2月公表
CBP501臨床開発計画の修正

2月9日 適時開示 『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』

➤ 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。

2月28日 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） 公表

☒ 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、いつでも迅速に米国試験を再開可能な準備を整えつつ、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

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。

CBP501臨床開発の展開（2024年2月公表情報*1と現状）

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

概ね完了
2024年6月25日公表*2

➤ 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

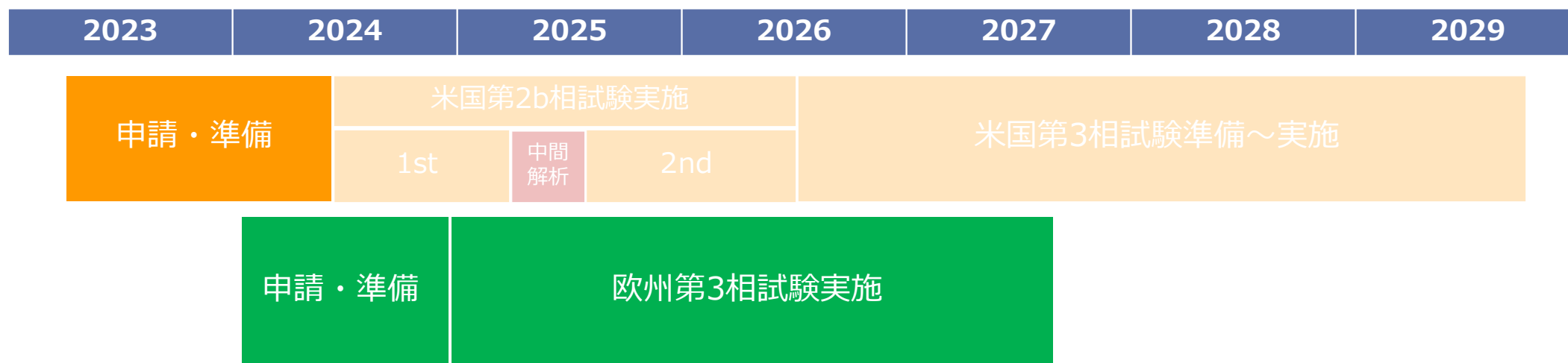
維持
2024年8月現在

*1 2024年2月9日『[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](#)』及び2月28日『[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）](#)』

*2 2024年6月25日『[2024年6月期の通期業績予想に関するお知らせ](#)』において、米国で備えるべき準備に区切りがついた旨を公表

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・3

場合分け2：欧州申請手続・準備手続の長期化が見込まれる場合

- 欧州開始承認取得をにらみつつ米国第2b相試験を1stステージ（中間解析）まで進める判断

最終 準備	米国第2b相試験実施		
	1st	中間 解析	2nd

中間解析までの開発費
約17.5～20億円

場合分け3：欧州申請・準備が進まないと見込まれる場合

- 欧州当局との協議は継続しつつ米国第2b相試験完了まで進める判断

最終 準備	米国第2b相試験実施		
	1st	中間 解析	2nd

2b相終了までの開発費
約32.5～40億円

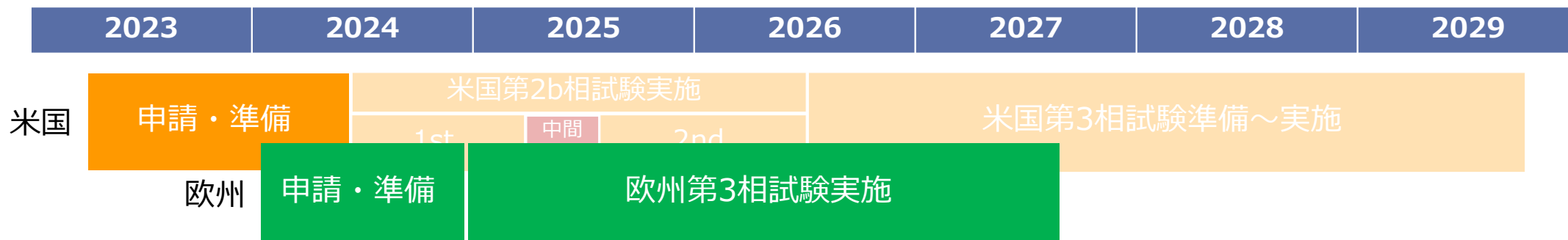
第3相開発費用
約40～60億円か

現状：「場合分け1」を想定して進行

欧州申請手続きの現状認識

- ✓ 開始承認取得の**時期**には**不確実性**があるが、場合分け3の検討は不要な状況と認識
- ✓ 時期の面以外にも状況が大きく悪化すれば場合分け2の移行を検討。**現状はその兆候なし**

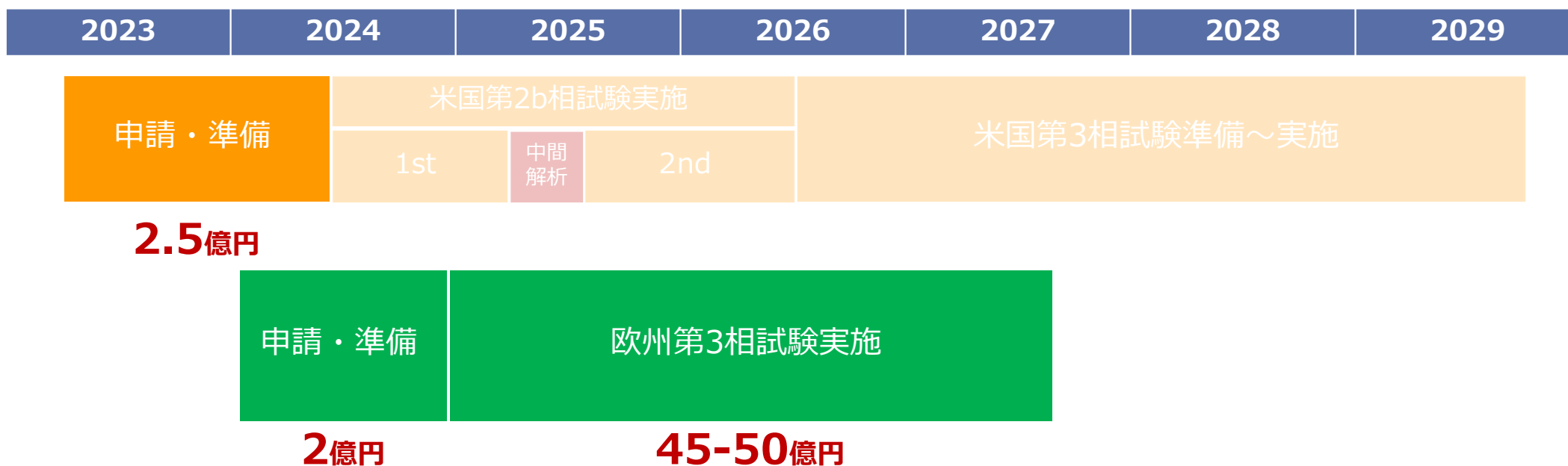
欧州臨床第3相試験開始へ経営資源を集中 (2024年6月25日適時開示で言及)



- 米国での準備（欧州臨床試験開始の不確実性に備えた“保険”）に区切り
 - ✓ 試験実施施設（病院）群との契約や手続きの手前でペンディングすることによって最小限のコストで米国再スタート体勢を確保
 - ✓ 欧州申請業務も進捗していることから、経営資源を欧州に集中

今後発生する費用の見通し

場合分け1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

2024年6月期決算・財務の状況

2024年6月期の業績 (1)損益計算書

2024年6月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

✓ 事業費用1,262百万円の内訳：

基礎研究費*1 191百万円（前期188百万円）臨床開発費*2 792百万円（同482百万円）販管費 278百万円（同294百万円）

基礎研究費・販管費に大きな変動なし。臨床開発費は米国第2b相・欧州第3相の準備費用支出により増加

✓ 営業外損益（為替差益59百万円・株式交付費5百万円）

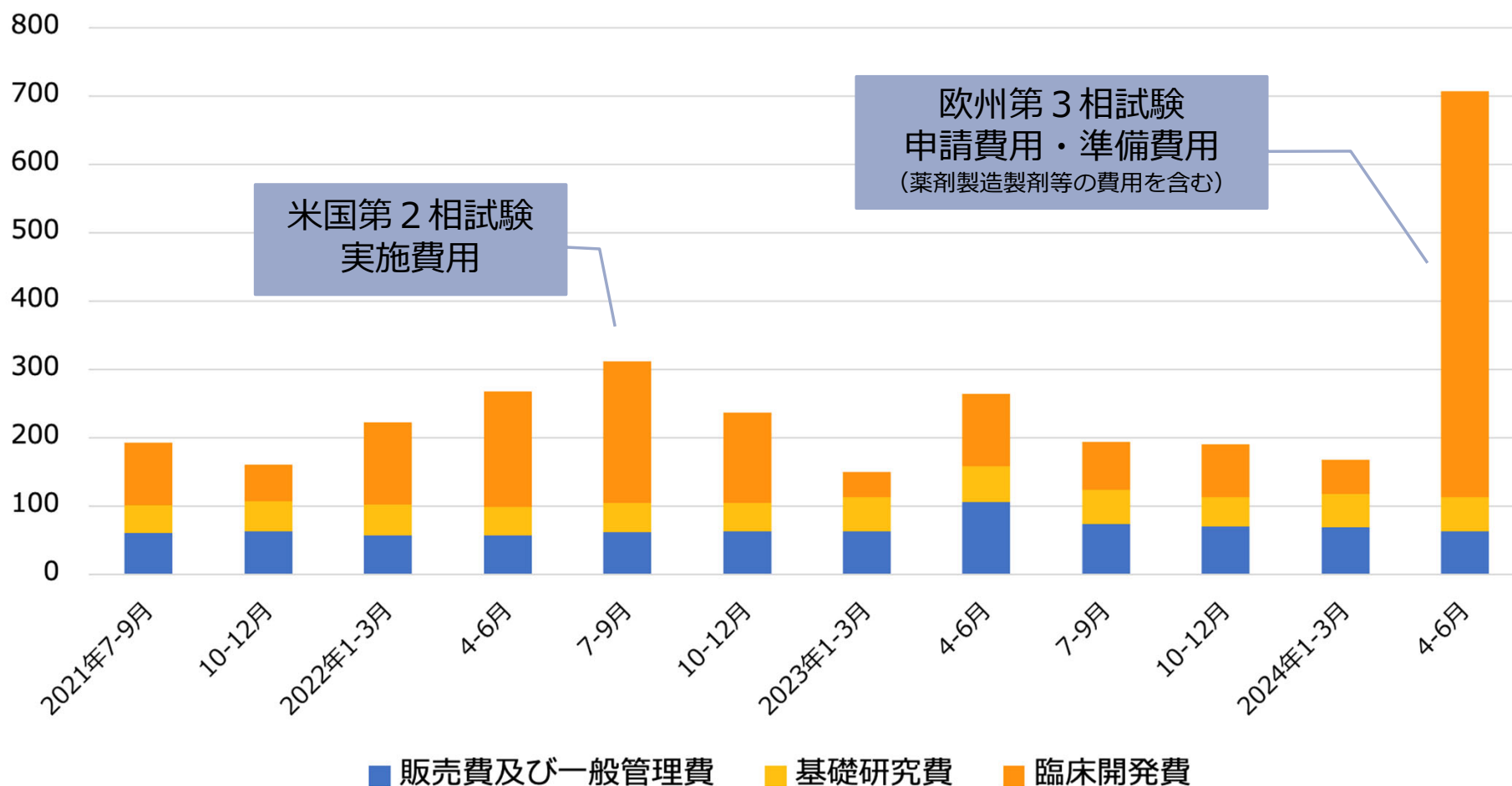
	2024年6月期	前期比	注
事業収益（売上高）	— 百万円		
営業利益	△1,262 百万円	損失増加 297 百万円	
経常利益	△1,208 百万円	損失減少 75 百万円	
当期純利益	△1,209 百万円	損失減少 35 百万円	

*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。

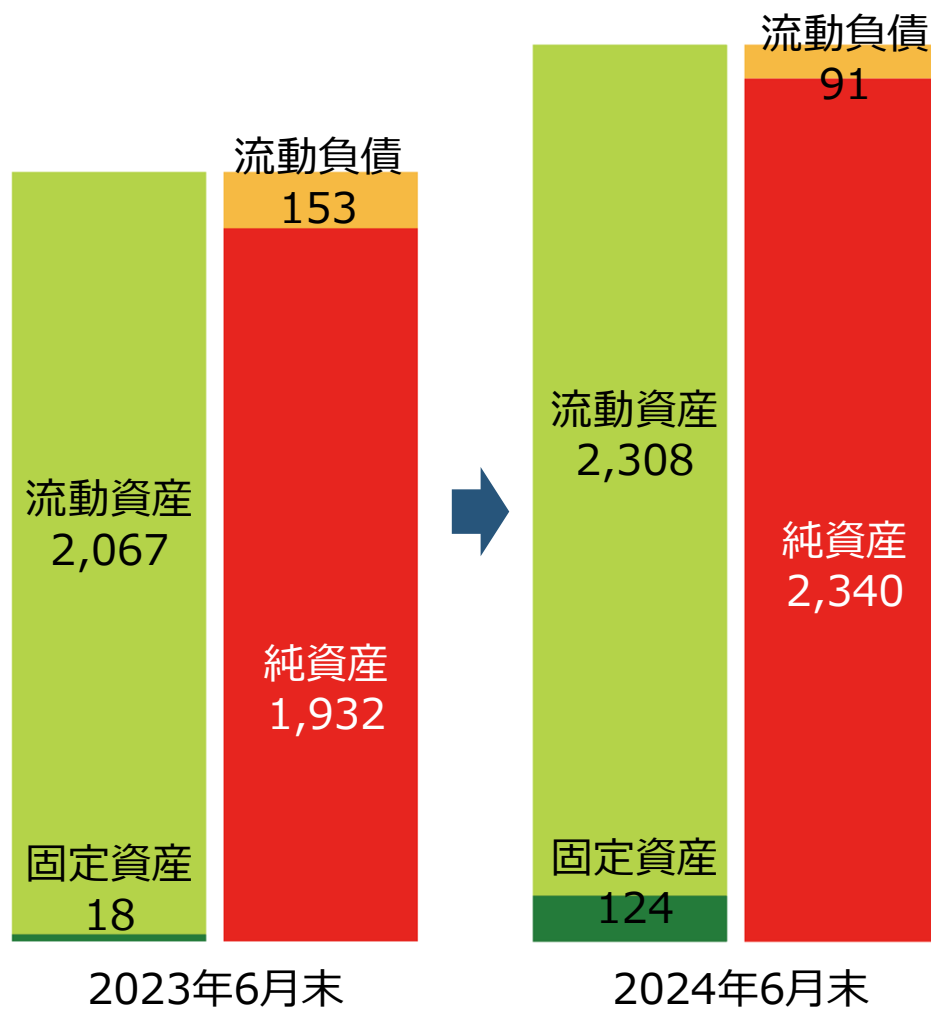
*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106・CBT005に関する費用はありません。

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 → 1,888*

*事務的都合で7月初返還となった前渡金251百万円（6月末時点では未収入金の一部に計上）を含めた実質の現預金残高は2,139百万円

- ✓ 前渡金 367 → 109

- 米国臨床試験準備の一部
- 今後のリスクに備え最低必要額のみ残存

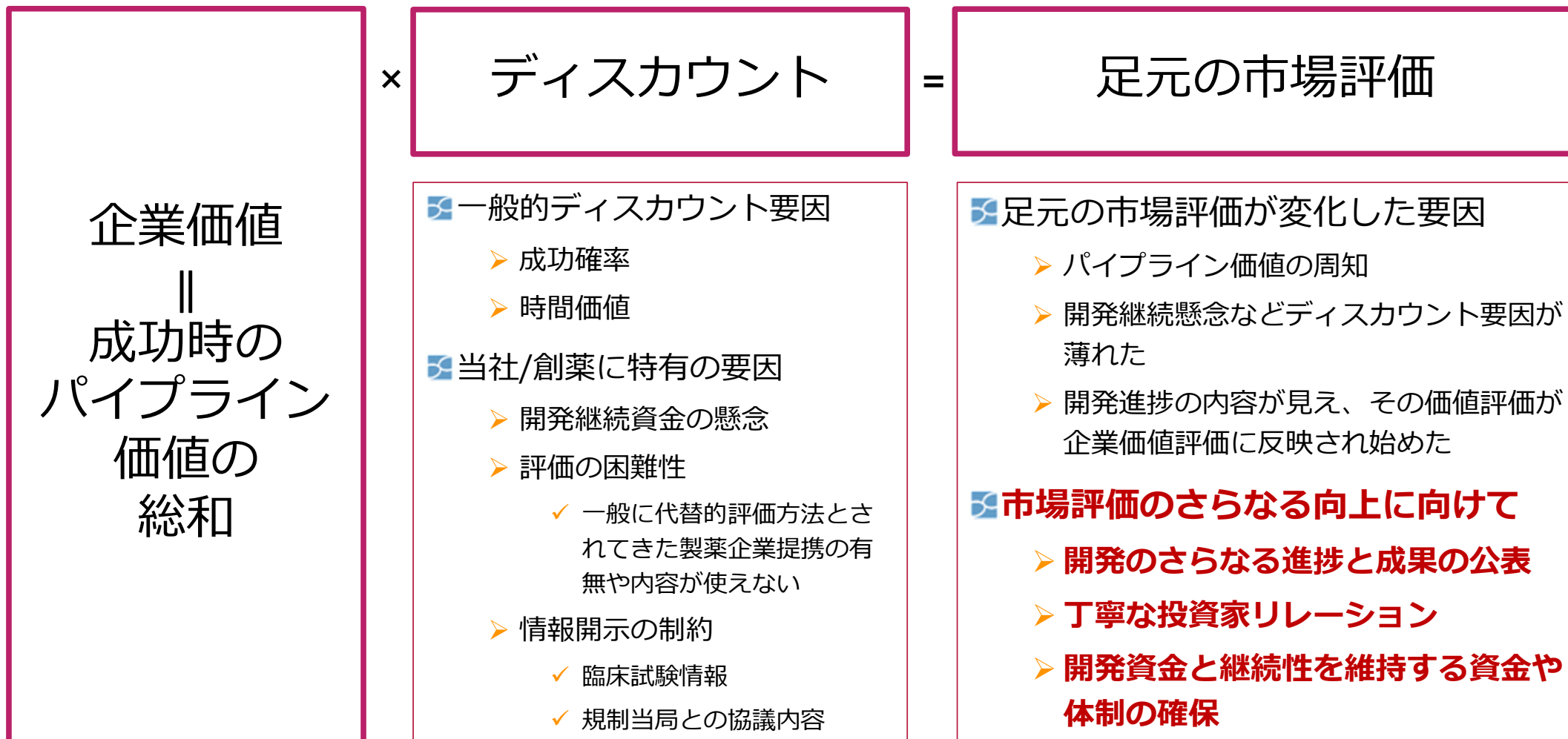
▶ 純資産

- ✓ 株主資本合計 1,898 → 2,304

- 新株予約権行使による資金調達の見込み

*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
- ✓ 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

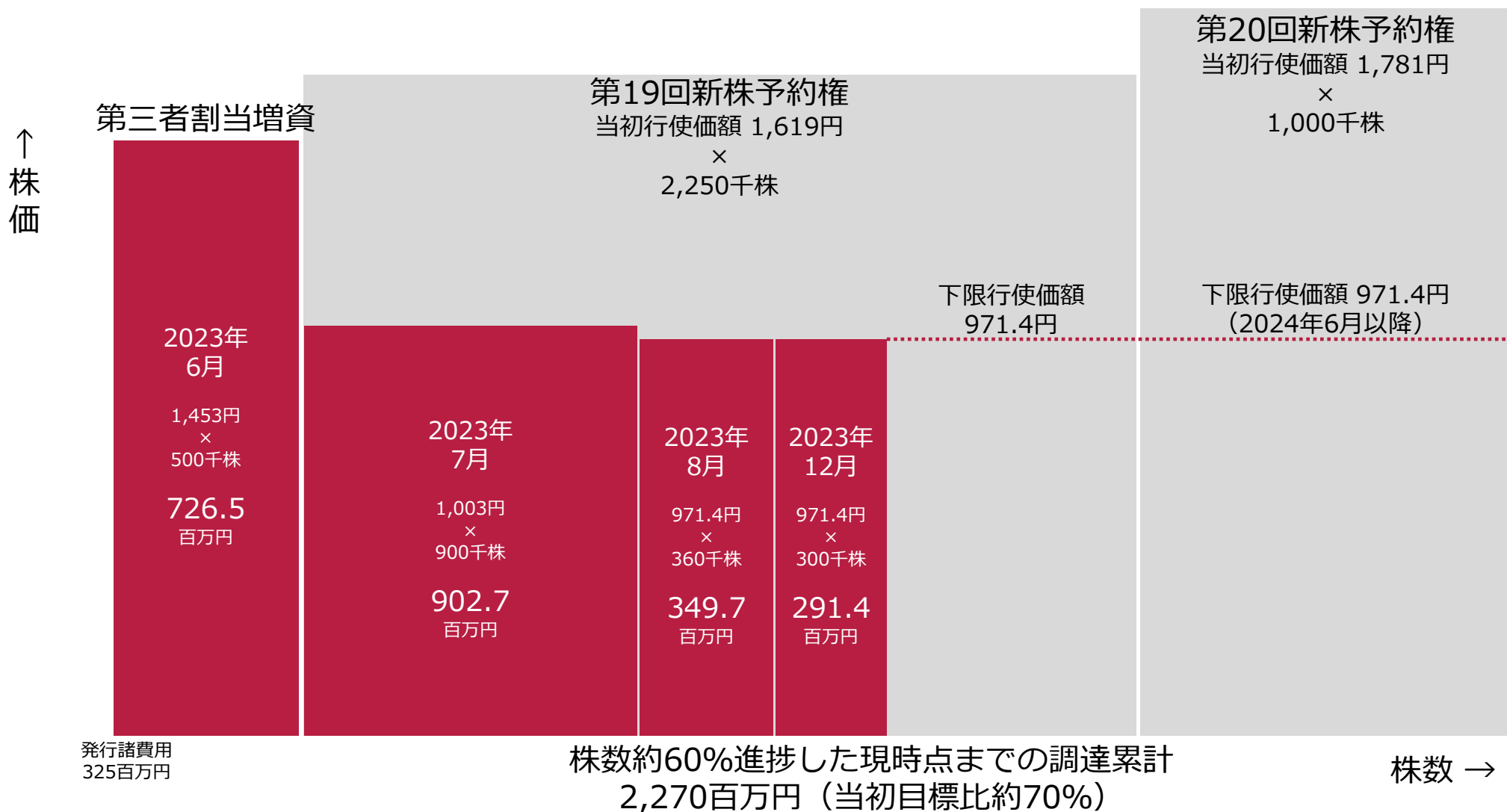
資金使途及び支出時期、充当状況

CBP501臨床第3相試験完遂までの費用と運営資金に充当する計画で調達

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がります。</p> <div style="background-color: #fff9c4; padding: 5px;"> <p>2024年6月期充当状況</p> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 23年5月～ 米国臨床第2b相試験関連支出（実績） 約4億円 （前渡金残高約1.1億円を含む） ➢ 24年2月～ 欧州臨床第3相試験関連支出（実績） 約6.1億円 </div>
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> <div style="background-color: #fff9c4; padding: 5px;"> <ul style="list-style-type: none"> ➢ 23年7月～24年4月運営資金支出（実績） 385百万円に全額充当 ➢ 以降の運営資金は調達前から保有の現預金を充当中 </div>
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。

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

- 📌 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人超。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7月1日最新版『[ベストシナリオの可能性がやや上昇](#)』
 - 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（[2024年2月15日開催](#)）



■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