

2024年11月13日

各 位

会社名 株式会社 キャンバス
代表者名 代表取締役社長 河邊 拓己
(コード番号：4575 東証グロース)
問合せ先 取締役最高財務責任者 加登住 眞
IR@canbas.co.jp

「事業計画及び成長可能性に関するご説明資料」の修正について

当社が欧州で開始申請中のCBP501臨床第3相試験について、同試験で使用するCBP501の製造・製剤の工程に関する欧州規制適合対応のための作業を進めてきましたが、この対応が終了した後の薬剤供給が2024年中に始められないことが確実になりました。

このため、仮に規制当局からの臨床試験開始承認を2024年中に受領できたとしても、臨床第3相試験開始は2025年となります。

これに伴い、2024年8月9日公表の「事業計画及び成長可能性に関するご説明資料」にある「2024年中に試験開始の可能性も維持」などの記載を修正することとなりましたので、お知らせします。

今回の規制適合のための作業そのものは短期間で完了の見込みであり、現在申請中の臨床第3相試験開始承認の受領時期には影響を及ぼしません。

規制に適合した設備・プロセスで製造・製剤化されたCBP501の供給開始までに時間がかかることによって、臨床第3相試験の開始可能時期のみに影響が生じたものです。開始承認を受領した際には速やかに公表します。

また、「事業計画及び成長可能性に関するご説明資料」中の記載「初期の目標（2027年上市）の実現可能性を維持」についても、今回変更はありません。

規制に適合したCBP501薬剤の供給開始が可能となる時期は2025年の早い時期と見込んでいますが、未だ不確実性があります。この不確実性などによって上市目標時期の変更が必要となるほど臨床第3相試験開始時期が遅延する見込みとなった場合には、その旨を速やかに公表します。

今回の修正について、当社代表取締役社長河邊拓己は次のようにコメントしています。

「臨床第3相試験開始申請とそれに関連するさまざまな作業について可能な限り万全を期して進めてきましたが、製造製剤工程の規制適合で『時期のリスク』が顕在化してしまったことを残念に思っています。

とはいえ、欧州規制当局EMAに対する臨床第3相試験開始申請は、時期の不確実性を除いて、現在も特に問題なく進んでいます。

また、臨床第3相試験開始承認を得られてから臨床試験開始までの期間短縮など、実施施設との調整も順調に進んでおり、2027年承認・上市という目標の実現可能性は変わっていません。

引き続き、私たちにできるあらゆる手段を講じて、承認された治療の未だない臓臓がん3次治療の患者様へ一日も早くCBP501をお届けしたいと考えています」

なお今回、上記の修正のほか、前回の「事業計画及び成長可能性に関するご説明資料」の構成を見直し、従来の「場合分け1～3」の表現を削除しました。

この変更は、「場合分け」の語によってあたかも同程度の可能性のある選択肢であるかのような誤解が生じると考えられるためです。

欧州臨床試験開始申請作業が進んでいる現状において、米国臨床第2b相試験（従来の表現でいう場合分け2・3）を当社が選択する可能性が当初よりも低下していることから、あくまでも本線は欧州臨床第3相試験開始申請であり米国で開始承認済みの臨床第2b相試験は念のための備えの位置づけであることを明確にしました。

■主な修正点

- 旧28～36頁「CBP501臨床開発計画の修正」の章を「CBP501臨床開発の欧州シフト」に変更
 - ✓ 旧31頁「開発のベスト/ワーストシナリオ 変動まとめ」を削除しました。
 - ✓ 「欧州申請・開始準備の現状（2024年11月時点）」を追加し、旧31・32・35ページ・36頁の情報を盛り込みました。
 - ✓ 旧32頁にあった「2024年中に試験開始の可能性も」の表現を削除し、「欧州第3相試験開始は2025年に」としました。
 - ✓ 旧33頁で使用していた「場合分け1」の表現を削除しました。
 - ✓ 旧34頁の「場合分け2・3」を「欧州申請の不確実性への対応」としました。

- 旧69頁「2023年ファイナンス 現在までの調達と今後」
 - ✓ 2024年9月調達分を図に加筆しました。
 - ✓ 新たに「資金調達・開発資金確保に関する当社の現状認識」の頁を設け、当社の現状認識を記載しました。

- その他の頁においても、上記の修正に伴って表現を変更しました。

以上



事業計画及び成長可能性に関する ご説明資料

2024年11月13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(主要評価項目達成)しました。次相臨床試験に関しては、米国では臨床第2b相試験の開始承認となったため、現在は、米国第2b相試験を開始できる準備を整えたうえで、欧州での臨床第3相試験開始を最優先とし、2025年の試験開始に向け、開始申請と準備を進めています。2024年8月、欧州規制当局からオーファンドラッグ指定を受領しました。

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進めています。基礎研究・最適化段階のIDO/TDO阻害剤も、日本に続き米国で特許が成立しました。

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、自ら一貫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。

私たちは、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。おかげさまで、これによる資金調達は概ね順調に進捗しています。

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速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。

2024年11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

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

☒ マネジメントチーム



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）で博士研究員として勤務。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） 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。

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.

Translational Genomics Research Institute (TGen) 特別教授、
分子医学部門上級副社長
City of Hope シニアコンサルタント臨床研究者
Mayo Clinic 医学部教授
Honor Health Research Institute 卓越教授
元 全米がん研究諮問委員会 (NCAB) メンバー
元 米国癌学会 (AACR) 会長
元 米国臨床腫瘍学会 (ASCO) ボードメンバー
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
元 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、
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 <small>創薬パイプライン型展開</small>				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 <small>創薬基盤技術型展開</small>	前臨床試験終了し導出済み			第1相試験完了	Stemline社
CBT005 <small>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</small>	前臨床試験準備				日本大学
CBP-A08 <small>CBP501の系譜に属する ペプチド型免疫系抗がん剤</small>	最適化終了				
IDO/TDO阻害剤 ほか※					静岡県立大学 ほか

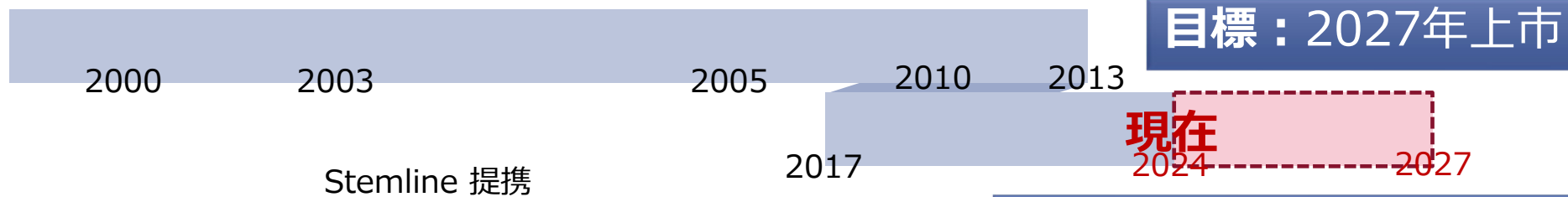
※ 上記のほか、がん免疫領域で広く基礎研究を展開しています。

※ 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）

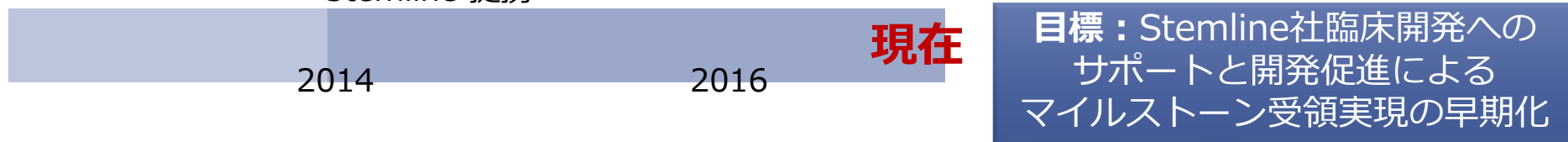
各パイプラインの歩み・現状・目標



CBP501



CBS9106



CBT005

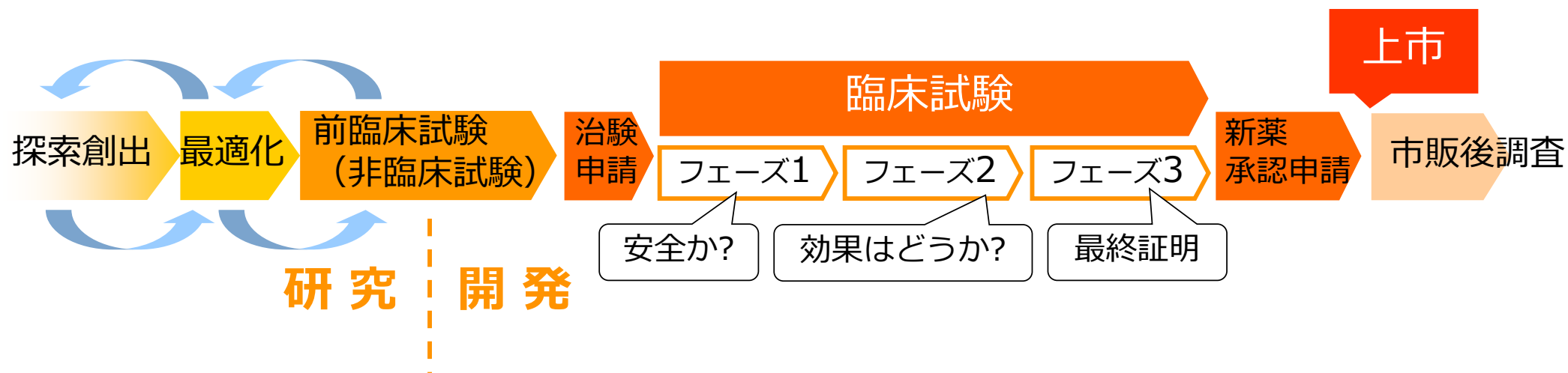


CBP-A08



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**

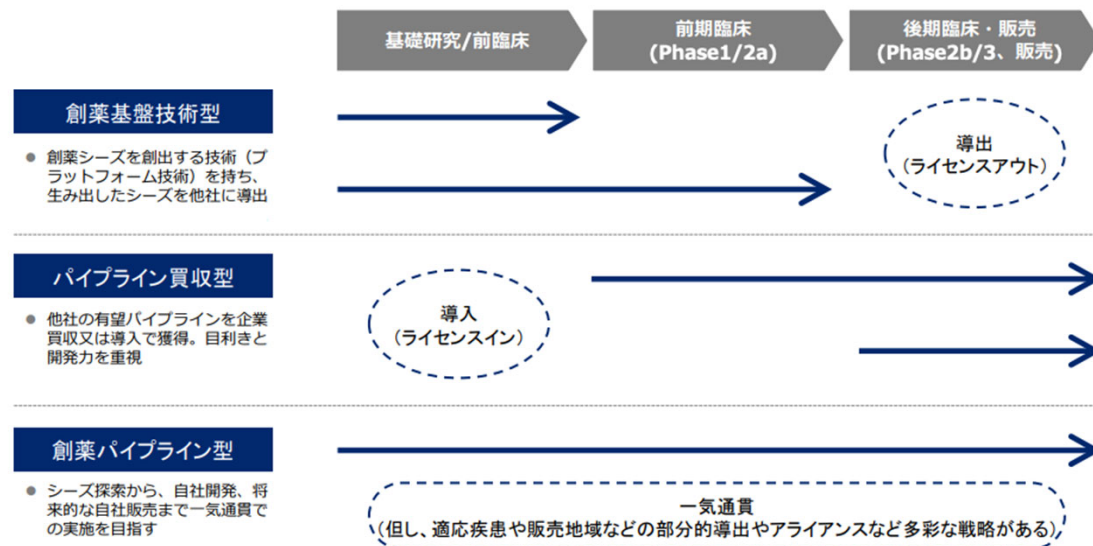
☒ ネガティブ面

- 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

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

バリューチェーンに応じたバイオベンチャーのビジネスモデル分類

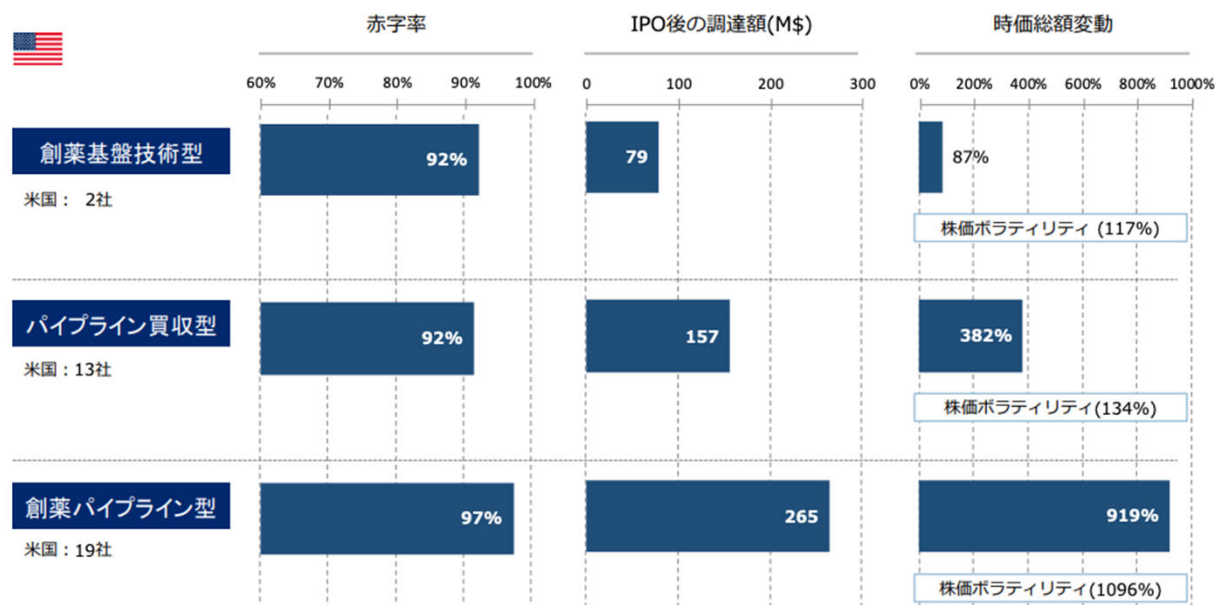


先行する米国は「創薬パイプライン型」が大きく成長

➤ 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)

米国のビジネスモデルごとの赤字率、調達額、時価総額変動の分析



- 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

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)

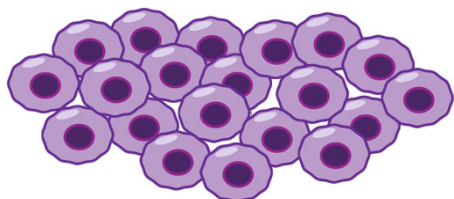
- 提携先Stemline社による米国臨床第1相試験完了（2022年2月14日）

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

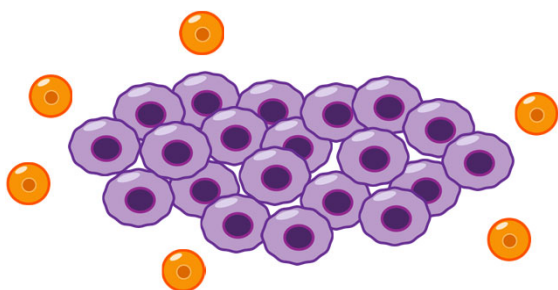
攻撃するための
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に
入り込めていない

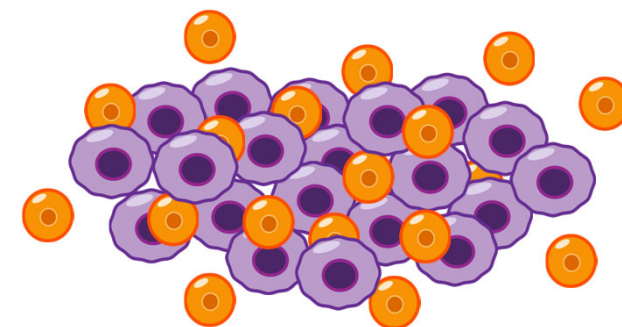
免疫排除



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

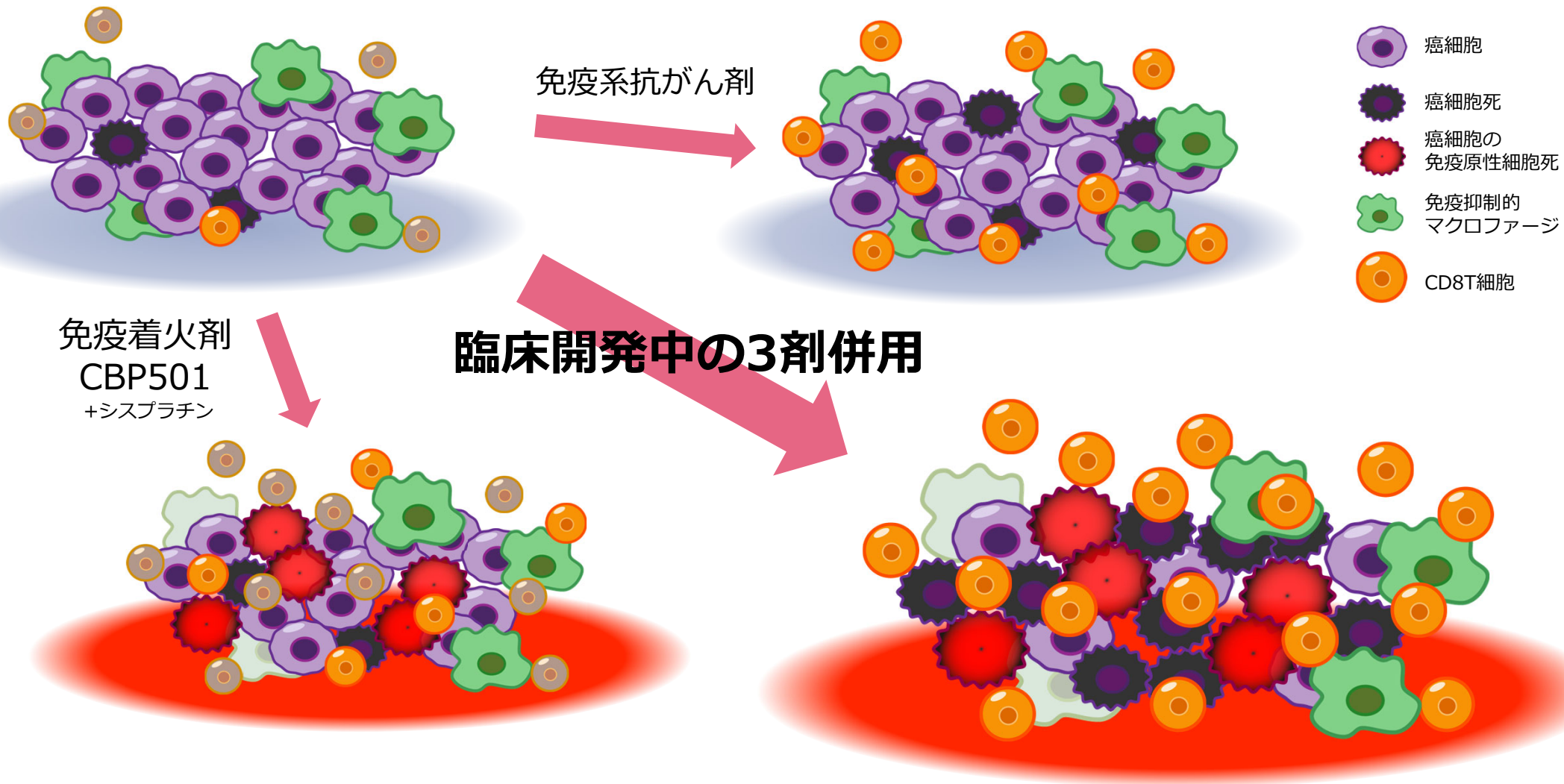
T細胞が十分いて
がんを攻撃できる

免疫ホット



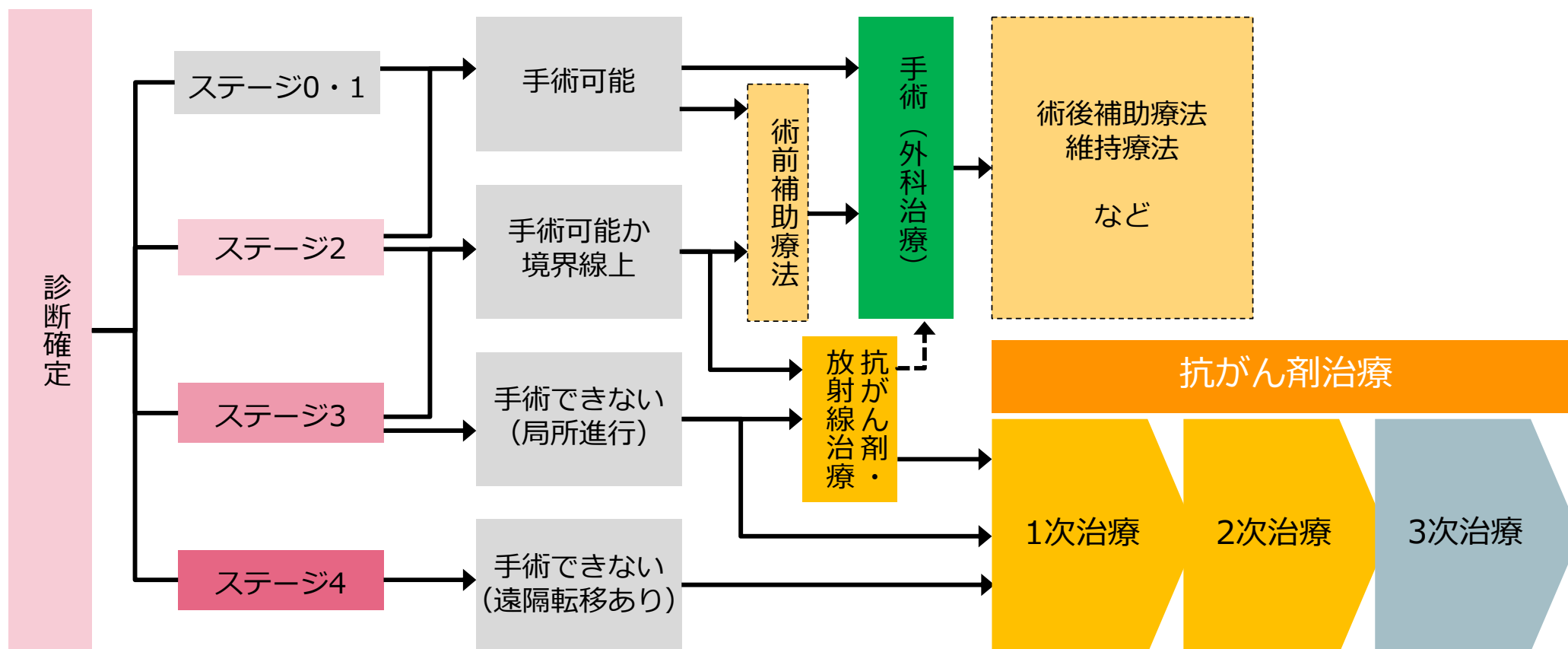
癌細胞 CD8T細胞

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

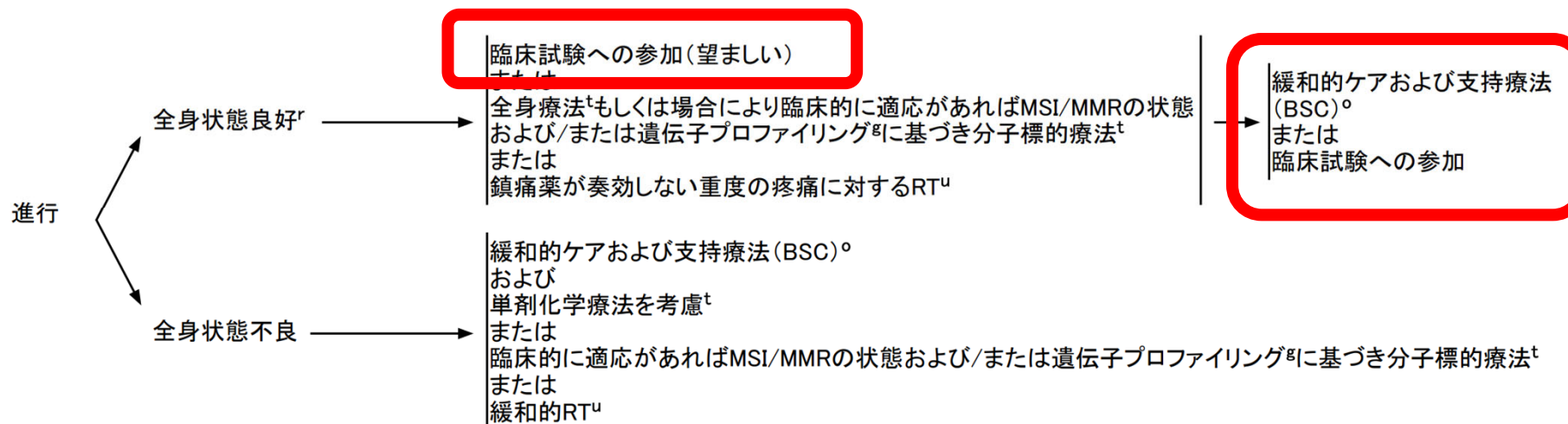


NCCN Guidelines Version 2.2021 膵癌（腺癌）

[ガイドライン索引](#)
[目次](#)
[考察](#)

進行

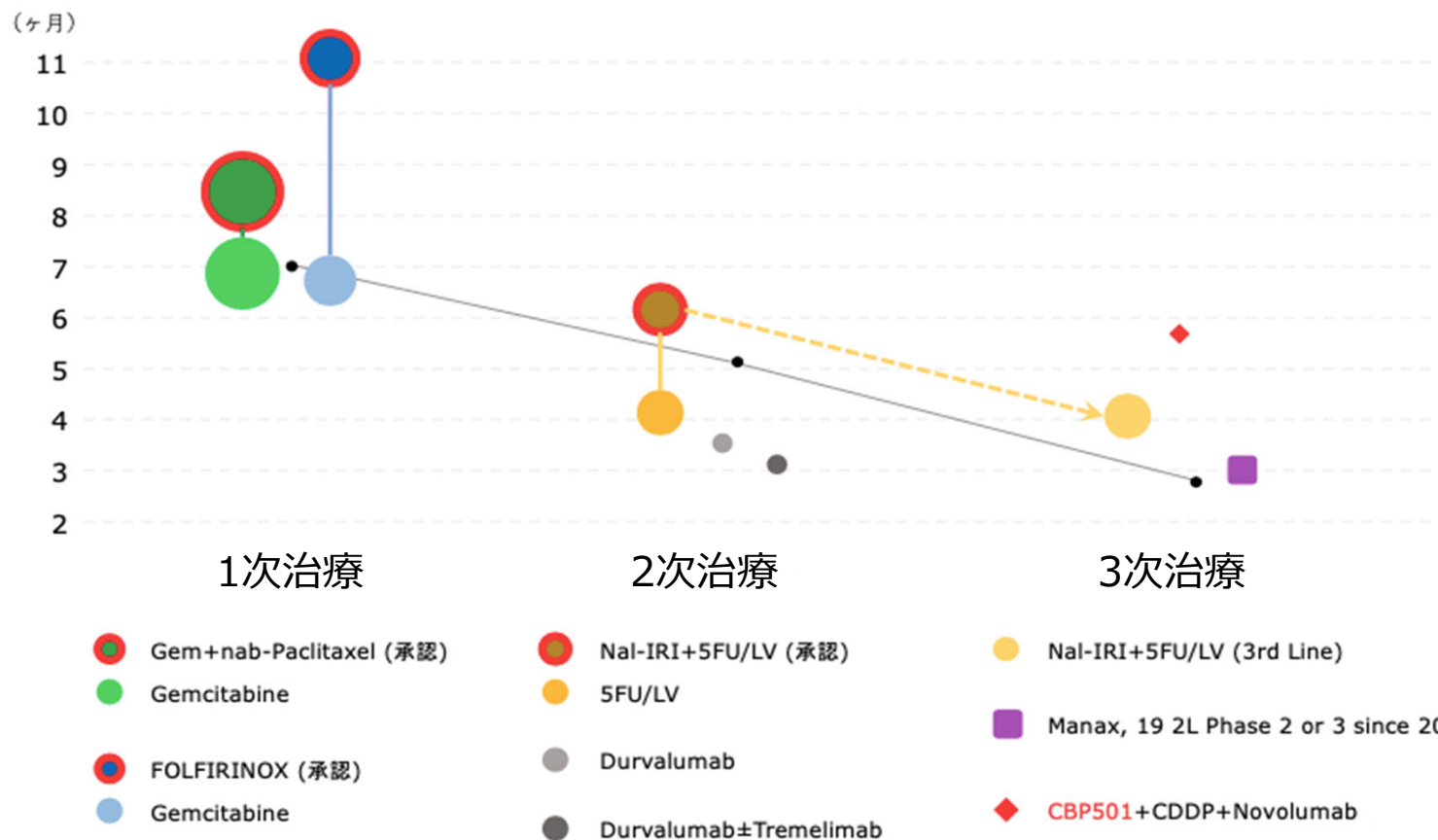
二次以降の治療^s



※NCCN腫瘍学臨床診療ガイドライン2021年第2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>

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。

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)

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 ≥3rd line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC <10,000/mm³

T. Enzler¹, A. Nguyen², J. Mislak³, 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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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 imputed objective response rate (CORR/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)	NA (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 (0.0) (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*, 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)	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)	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)

MADRID SPAIN
20-24 OCTOBER 2023

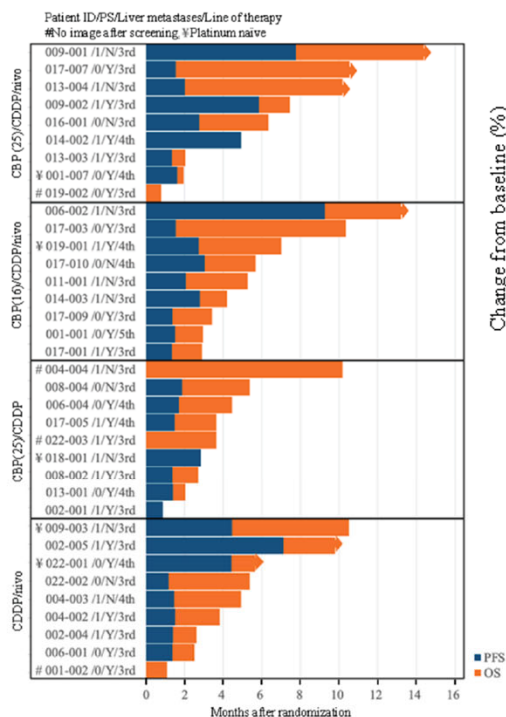
ポスター発表されたCBP501臨床第2相試験結果

- 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

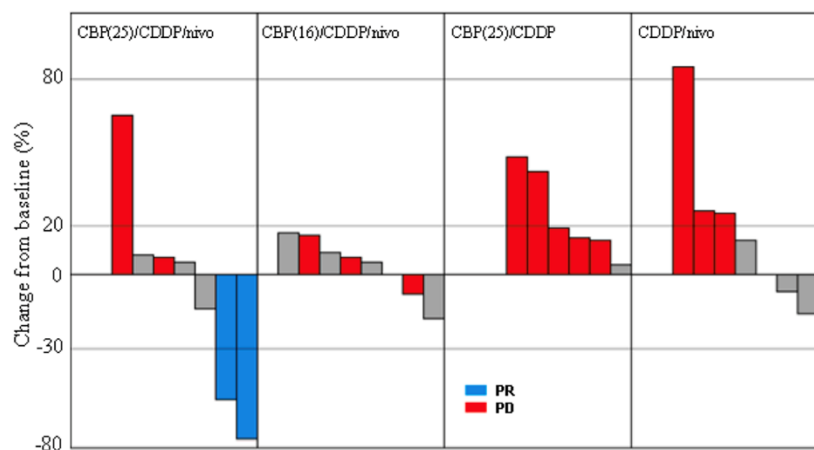
CBP501・シスプラチン・ニボルマブの併用療法は、転移性膵臓腺がんに対する3次治療として、**忍容性のある安全性**で、3ヶ月無増悪生存率、無増悪生存期間および全生存期間において、**持続的な奏効と臨床的に意義のある改善**をもたらした。この化学免疫併用療法は、さらなる検討を進めるべきである。

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

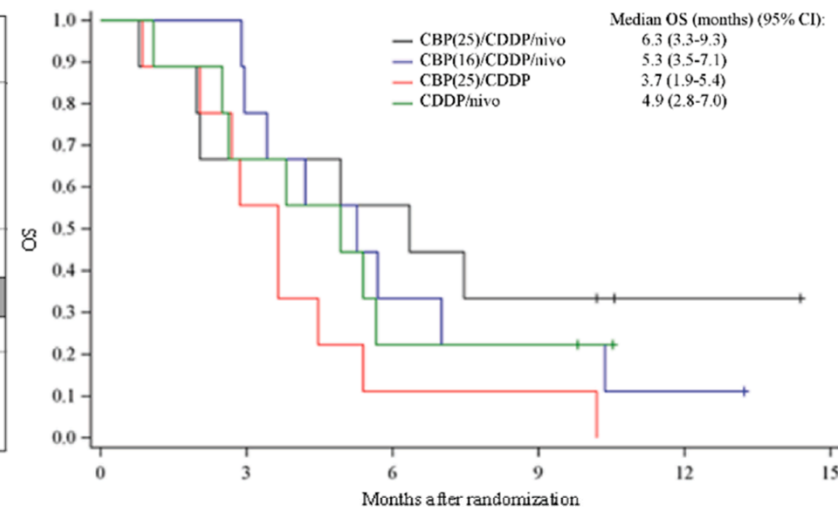
■ 個別症例のPFSとOSを示すスワイマープロット図



■ 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

2024年2月公表
CBP501臨床開発の欧州シフト

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って第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3を選択しました

欧州臨床第3相試験開始申請手続きの現状認識

- 開始承認取得の**時期**には、当社でコントロール不能な不確実性が存在
- 時期以外の面では、現時点で米国臨床第2b相試験への移行検討は不要な状況
- **時期以外**でも状況が悪化したときは米国移行を検討。**現状はその兆候なし**

欧州試験開始最優先を継続。欧州第3相試験開始は2025年に

- 本試験用薬剤の供給開始可能時期が2025年初頭以降に
- 申請自体に問題は生じていない
- 第3相試験費用見通しは現時点で45-50億円（2023年ファイナンス時の想定に変動なし）
- **初期の目標（2027年承認・上市）実現可能性は変化なし**

引き続き経営資源を欧州臨床試験開始に集中

- 念のため米国第2b相試験はペンディング継続

欧州申請の不確実性への対応

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

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

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く（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	膀胱がんは開発終了 (2024年5月)
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	Halozyme	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	開発戦略の見直し (2024年1月)

CBP501は現在も膵臓がん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					

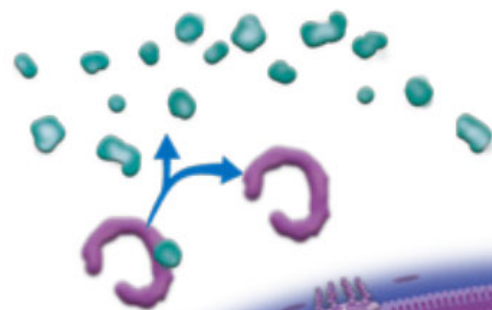
↓ 適応拡大

※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)

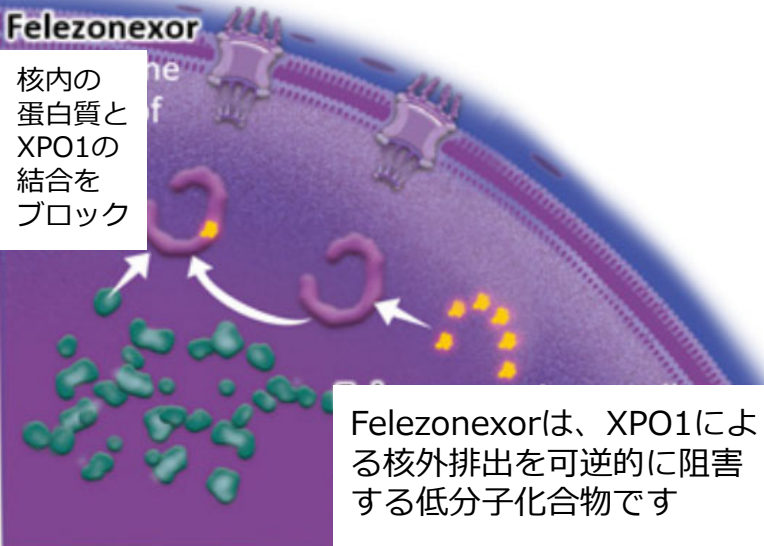
XPO1は、がん抑制因子、細胞周期阻害因子、転写因子など、がん細胞にとって都合の悪いさまざまな蛋白質を核外へ運び出しています

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

※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**

- ✓ 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 \geq third-line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC $<10,000/\text{mm}^3$ ” - 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

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・日本で成立済)
 - ✓ 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 (WO2019078246A1 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）

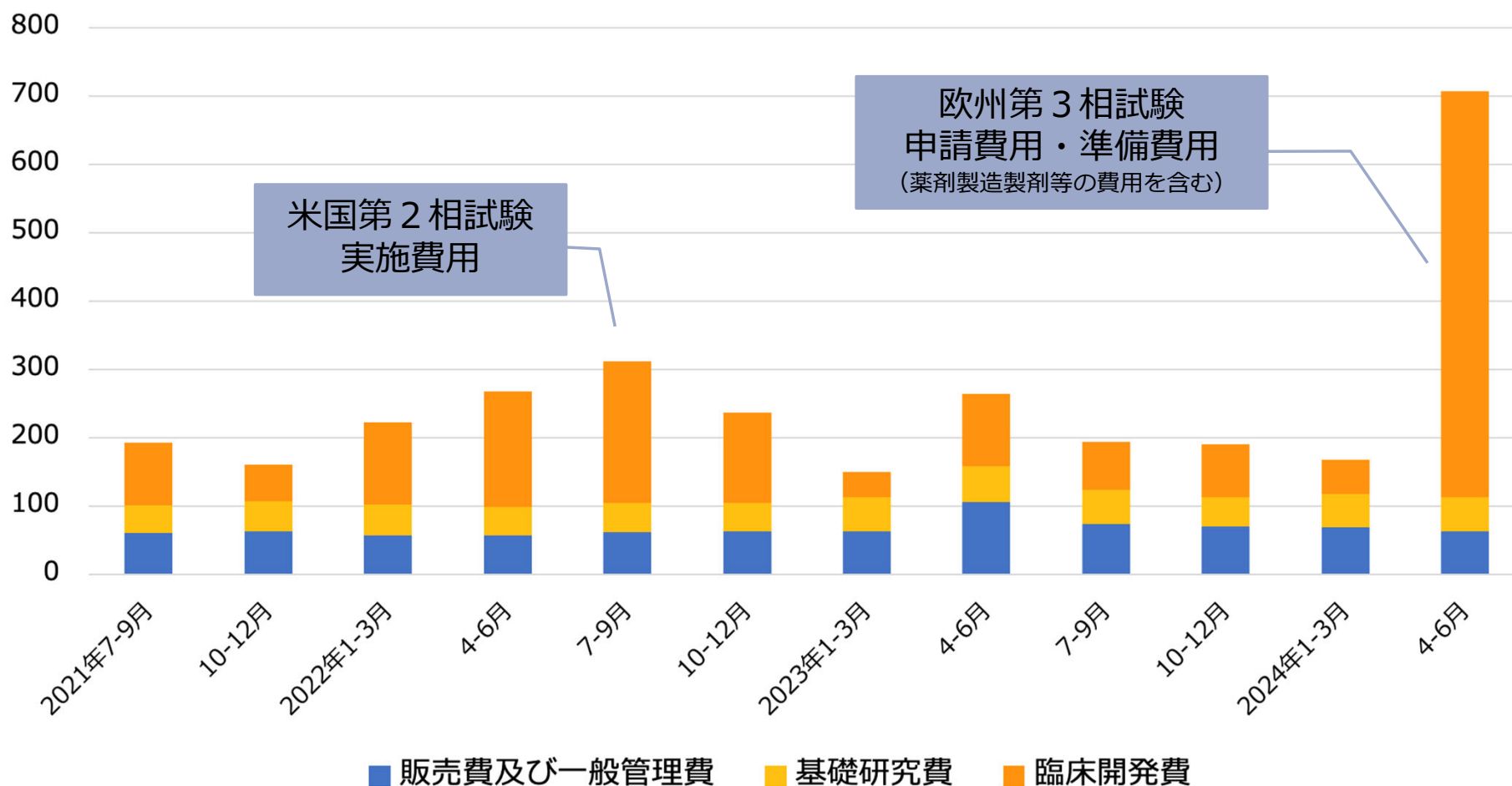
	2024年6月期	前期比	注
事業収益（売上高）	— 百万円		
営業利益	△1,262 百万円	損失増加 297 百万円	
経常利益	△1,208 百万円	損失減少 75 百万円	
当期純利益	△1,209 百万円	損失減少 35 百万円	

*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。

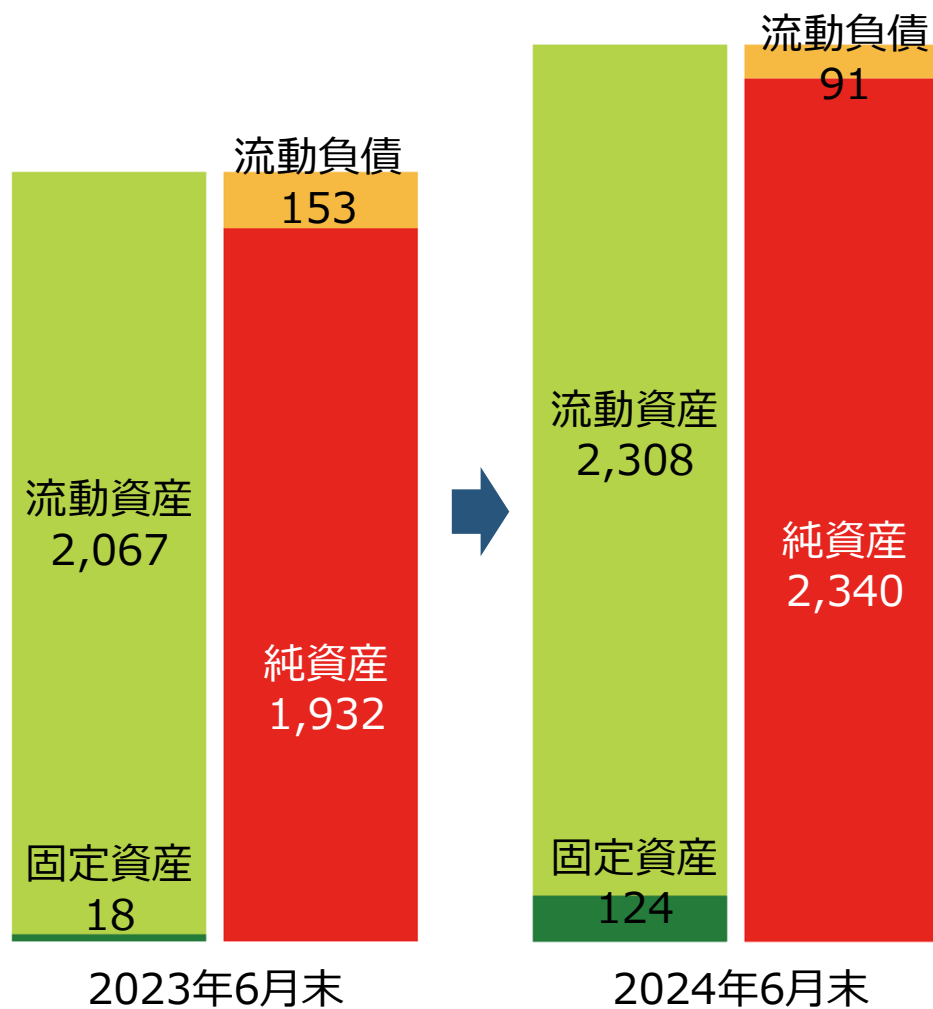
*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106・CBT005に関する費用はありません。

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

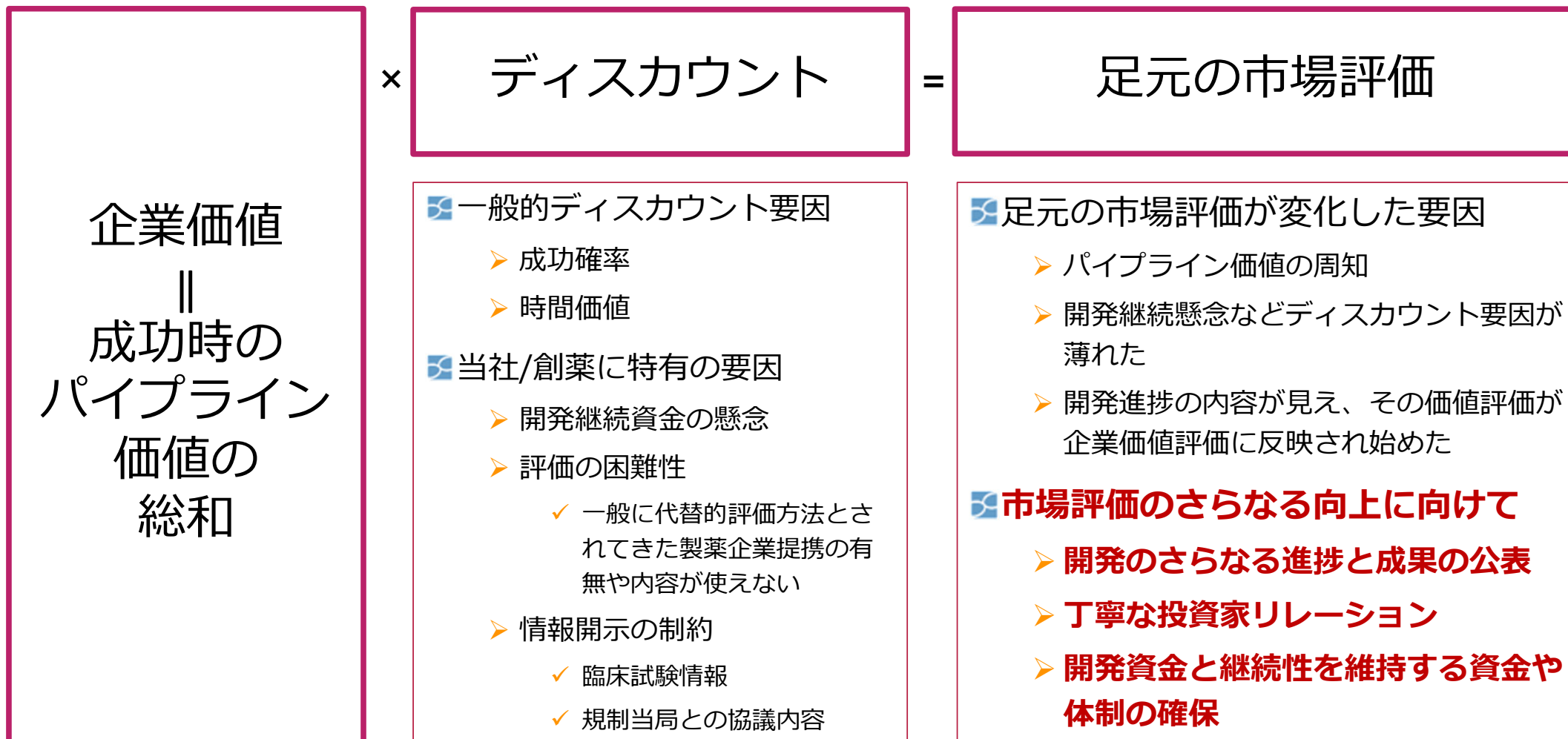
▶ 純資産

- ✓ 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。

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

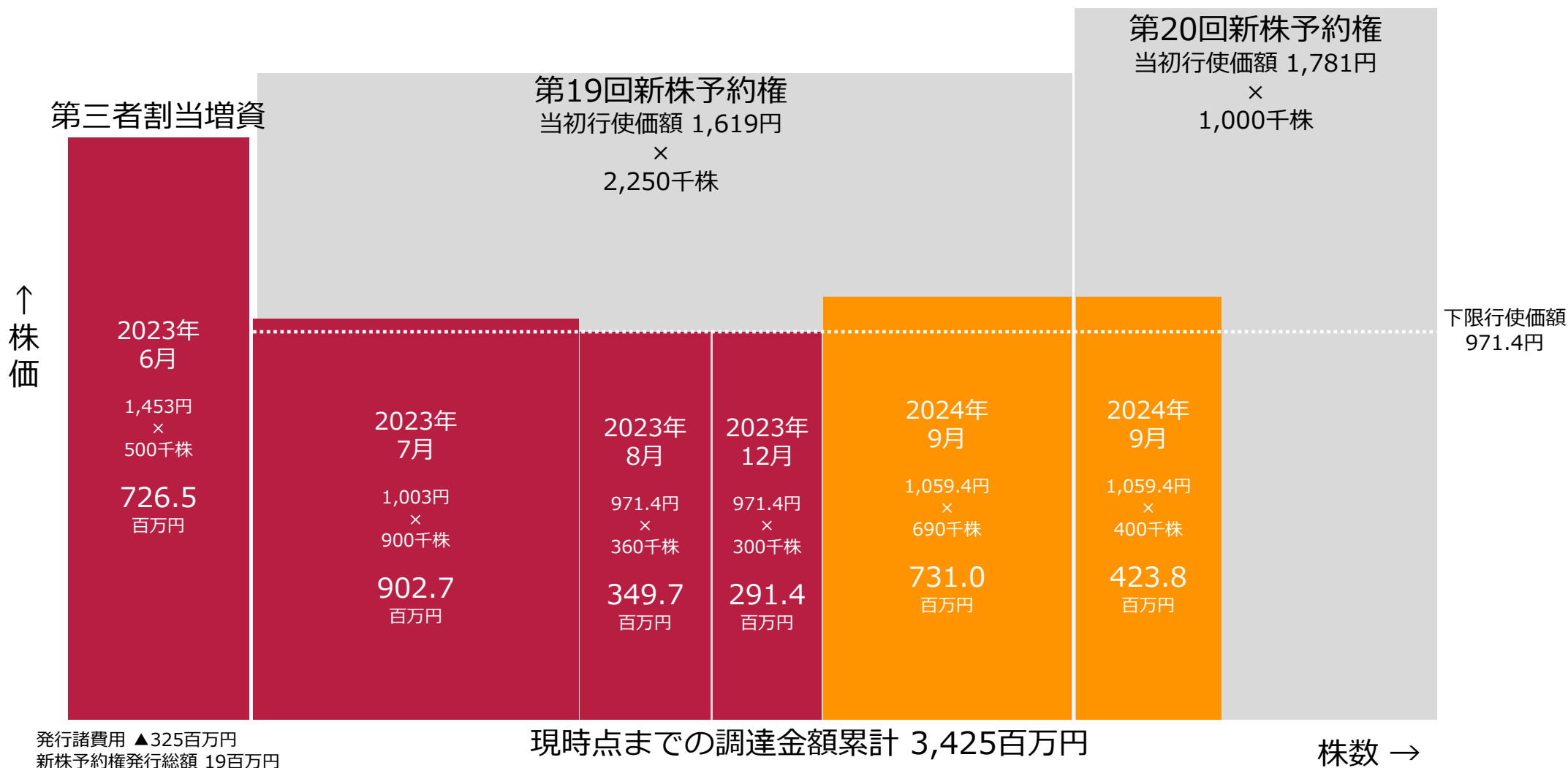
- 発行価額 1株あたり1,458円
- 普通株式 500,000株 (729百万円相当)
- 払込期日 2023年6月2日

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



2023年ファイナンス：概ね成功裏に推移

- 第三者割当増資・新株予約権行使の合計で34.3億円の調達
 - ✓ 7.3億円の確実なアップフロント調達
 - ✓ 新株予約権での調達は27億円にとどまっているが、株価へのインパクトを抑制しつつ平均行使価額1,018.3円（下限行使価額+約5%）で段階的調達を実現

今後：当面の資金に問題はなく、状況変化に応じて判断・対応

- 第3相試験資金需要の不確実性
 - ✓ 当初の見込費用45～50億円
 - CRO契約など一部の支出は既に始まっている
 - 一方でプロトコル、実施施設数、組入ペース等によって上下どちらにも変動
- 追加資本政策を検討する場合のポイント
 - 株主価値の毀損や希薄化を可能な限り回避・抑制するべき

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
 - 2024年6月期決算説明会動画・テキスト（[2024年8月20日開催](#)）
 - 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8月24日配信](#)（河邊・加登住登壇）・[2024年8月27日配信](#)（河邊登壇）

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