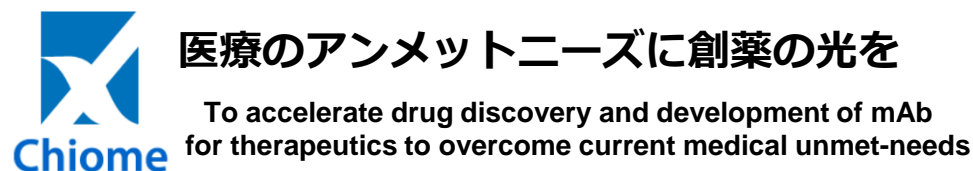




証券コード：4583

2024年12月期 決算補足資料

2025年2月13日



株式会社カイオム・バイオサイエンス



1. 2024年12月期 業績

2. 2024年12月期 事業進捗

(参考)

事業概要

パイプライン紹介



2024年12月期 業績

損益計算書



(百万円)	2023年12月期	2024年12月期	増減	増減の主な理由等
売上高	682	780	98	
(創薬事業)	-	202	202	PFKRライセンス契約に伴う収益
(創薬支援事業)	682	577	△104	顧客内の組織変更等による受注量の低下
売上原価・販管費	1,887	1,811	△75	
(研究開発費)	1,051	936	△115	治験薬製造費用等のCMC費用の減少
(その他)	835	874	39	
営業損失 (△)	△1,205	△1,030	174	
経常損失 (△)	△1,217	△1,019	198	
当期純損失 (△)	△1,220	△1,020	199	

貸借対照表



(百万円)	2023年12月期末	2024年12月期
流動資産	1,629	2,337
(現預金)	1,325	2,063
(その他)	303	274
固定資産	122	131
資産合計	1,751	2,468
流動負債	539	493
固定負債	54	55
負債合計	593	548
純資産合計	1,157	1,920
負債・純資産合計	1,751	2,468

キャッシュフロー計算書



	2023年12月期	2024年12月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,069	△1,000
投資活動によるキャッシュ・フロー	0	-
財務活動によるキャッシュ・フロー	667	1,738
現金および現金同等物の増減額	△401	737
現金および現金同等物の期首残高	1,727	1,325
現金および現金同等物の期末残高	1,325	2,063

※ 百万円未満は切り捨てして表示しています。

【キャッシュフローの状況に関する説明】

営業活動によるキャッシュ・フロー：臨床開発を中心とした研究開発費や販管費等の支出



2024年12月期 事業進捗



**PFKRの旭化成ファーマとのライセンス契約締結
その他の創薬プロジェクトについては引き続き導出契約の獲得に向け
製薬企業との各種協議を継続中**

**CBA-1205の有効性を期待できるがん種としてメラノーマ群の追加と、
これに伴う治験期間の延長を決定
⇒導出機会・製品価値の最大化を目指す**

**CBA-1535の安全性および薬効シグナルの確認に向けて治験期間を延長
⇒早期の導出等の可能性も見据える**

**自社抗体関連技術及び抗体創薬の経験に基づくビジネス機会の拡大により、
当社の知識経験（Intelligence）を収益化するIDD*の推進
⇒イーザイ社との共同研究契約を締結**

*: Integrated Drug Discovery

**キッズウェル・バイオ社との業務提携を通じ、
新たにバイオシミラービジネスに参入
開発・販売を担う第三のパートナー企業の選定・協業交渉中**

2024年12月期_事業進捗ハイライト



創薬事業 - 自社パイプライン

CBA-1205

- ✓ 臨床第1相試験前半パートで登録されたメラノーマ（悪性度の高い皮膚がんの一種）の患者さんで腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価が続き42ヶ月を超えて長期継続投与中。
- ✓ メラノーマを対象とする開発パートの追加決定。

CBA-1535

- ✓ 固形がんの患者さんを対象に段階的に用量を上げながら、安全性と初期の有効性を評価中。現時点では安全性に関して重大な懸念なし。
- ✓ 本剤のコンセプトであるT細胞の活性化を示す血中バイオマーカーの変化が見え始めている。

創薬プロジェクト

- ✓ 旭化成ファーマへのPFKRの導出契約締結。
- ✓ 前臨床段階にある複数の創薬プロジェクトの導出活動を継続。
- ✓ 創薬並びに技術開発プロジェクトにおける研究成果を国内外の学会等で外部発表。

新規事業

IDD

- ✓ エーザイとの共同研究契約締結。

バイオシミラービジネス

- ✓ キッズウェル・バイオ社と業務提携契約を締結。新たな収益源の確保を目的とし、臨床・CMC関連の当社機能を用いたバイオシミラービジネス立ち上げのため、第三のパートナー企業の選定と協業交渉中。

創薬支援事業

製薬企業等との取引

- ✓ 2024年の売上高は577百万円と顧客の組織変更等の影響により売上高は前期を下回る。
- ✓ メルクおよび富士フイルム和光純薬と業務提携契約を締結し、抗体作製受託サービスの販路拡大および効率化による本事業の安定的な成長を目指す。

主要パイプライン（抜粋）



★ ファーストインクラス
★★ 世界初の創薬モダリティでの臨床入り

開発コード	標的分子	疾患領域	ステータス
★ CBA-1205 (ADCC enhanced)	DLK-1	がん	第1相試験中 (jRCT2080225288) (NCT06636435)
★★ CBA-1535 (Tribody®)	5T4×CD3×5T4	がん	第1相試験中 (jRCT2031210708)
★ PCDC (ADC)	CDCP1	がん	非臨床試験中
PTRY	5T4×CD3×PD-L1	がん	非臨床試験中
PXLR	CXCL1/2/3/5	がん	非臨床試験中
PFKR	CX3CR1	自己免疫性 神経疾患等	2024年11月 旭化成ファーマへ導出

2024年12月31日時点

※上記以外のパイプラインについては、引き続き成果創出に向けて取り組み、適宜進捗をご報告いたします。

PFKR : 旭化成ファーマとライセンス契約締結



- 2024年11月20日、当社と旭化成ファーマ株式会社との間で、当社の治療用抗体「ヒト化抗 CX3CR1 抗体（当社プロジェクトコード：PFKR）」について、独占的ライセンス契約を締結
- 当社は旭化成ファーマに対して PFKR の全世界における独占的な開発、製造および販売権をサブライセンス権付きで許諾

PFKR

全世界における独占的開発・製造・
販売権(サブライセンス付き)



AsahiKASEI
ASAHI KASEI PHARMA

経済条件

- ◆ 契約一時金: 2 億円
- ◆ 将来的な開発および販売の進捗に応じたマイルストーン
(最大約248億円)



- ◆ 製品上市後
製品の売上高に応じたロイヤルティ



肝細胞がん患者さんにおいてPR症例の確認 メラノーマパートの追加



当初の試験デザインと目的	前半パート	後半パート
	対象：固形がん患者さん ・低用量から段階的に投与 ・安全に投与できる最大量を求める ・当初計画より高用量での投与群の追加	対象：肝細胞がんの患者さん ・肝細胞がん患者さんの臨床試験における最適な投与量を確認する（至適用量を求める） ・安全性と初期の薬効シグナルを評価

- 前半パート
- ・高い安全性。メラノーマの患者さんにおいて腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価*が42ヶ月以上継続中。
- 後半パート
- ・肝細胞がんでは1例のPR（部分奏功：30%以上の腫瘍縮小）を確認。
 - ・長期投与実績に基づきメラノーマコホートを追加設定。
 - ・欧州のIGTPとの共同研究に基づいて肝芽腫を初めとする小児の神経内分泌がんコホートの追加設定を検討。



CBA-1535臨床第1相試験の前半パートが進行中



試験デザイン

前半パート (単剤)

対象：固形がん患者さん

- ・低用量から段階的に投与し、安全に投与できる最大量を求める
- ・初期の薬効シグナルを評価

後半パート (がん免疫療法薬との併用)

対象：固形がん患者さん

- ・前半パートで安全性が確認できた用量から段階的に投与
- ・がん免疫療法薬 (IO) と安全に併用できる最大量を求める
- ・併用での初期の薬効シグナルを評価

・本抗体のコンセプトであるT細胞活性化を示すパラメーターに反応が見えつつある。現時点では軽微な副作用のみ確認され、**開発上の懸念を示すような安全性にかけるデータは無し。**

・**単剤パートのデータのみでの導出の可能性を見据え、単剤パートを延長しデータの拡充を図ることとした。**

黒字化目標の見直しと臨床開発品目の今後の展望

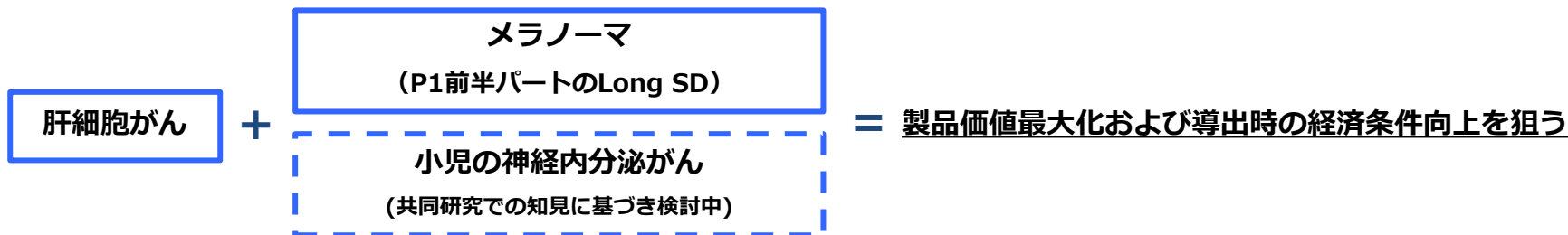


1) CBA-1205は適応拡大を視野に入れた開発パートの追加による導出機会及び製品価値の最大化、CBA-1535はT cell engagerの開発競争が進む中で前半パートの結果を用いた導出を狙う
⇒両剤の開発期間の延長（～2026年）と、有用なデータを用いたライセンス契約締結を目指す。

2) 2025年までの単年度黒字計画は、CBA-1205・1535のライセンスによる契約一時金の獲得が計画実現達成にむけた重要な前提であるため、上記臨床開発計画の延長に伴い2025年までの単年度黒字目標は見直す。

⇒今後の臨床試験において薬効の確認が期待される。ライセンス候補企業への開発状況のアップデートを継続する。

CBA-1205の今後の展望



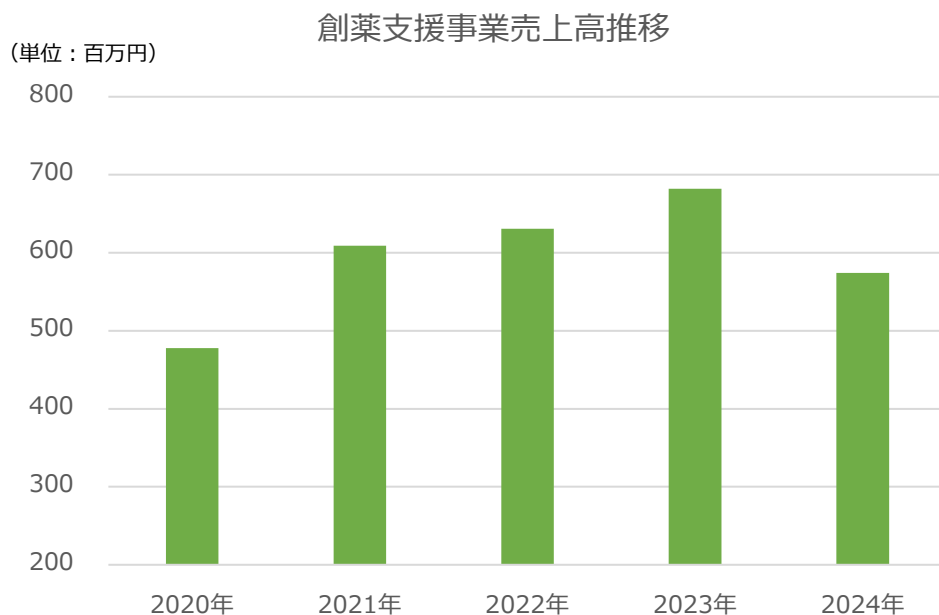
CBA-1535の今後の展望





製薬企業等との取引

- 2024年12月期の売上高は577百万円。顧客の組織変更等の影響により売上高は前期を下回る。
- これまで単発契約下で取り組んでいた武田薬品との取引について、新たに業務基本契約を締結。
- 抗体作製受託サービスの販路拡大を目指し、新たにメルクおよび富士フイルム和光純薬と業務提携契約を締結。



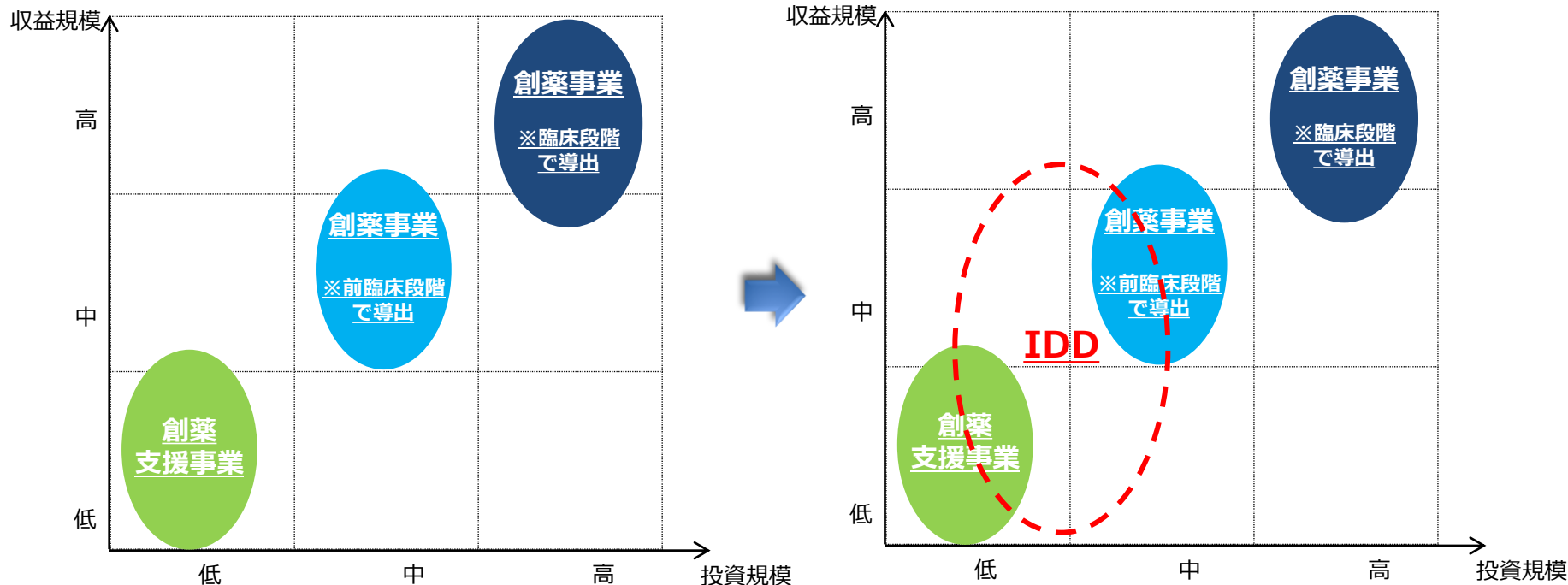
主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社 	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬株式会社 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc. 	2016年12月
小野薬品工業株式会社 	2018年10月
協和キリン株式会社 	2019年 7月
武田薬品工業株式会社	2024年 2月
販売提携	契約締結年月
メルク株式会社	2024年 9月
富士フイルム和光純薬株式会社	2024年12月

新規事業の立ち上げ



IDDビジネス（抗体創薬にかかるプラットフォーム型ビジネス）を立ち上げ、2025年以降の事業展開における収益力の強化とそれによる経営基盤の安定化を図る。

創薬事業/創薬支援事業のリスク/リターン



創薬支援

当社の保有する抗体創薬技術プラットフォームを活用した抗体作製・抗体エンジニアリングおよびタンパク質調製を提供する“高付加価値型受託研究ビジネス”。

IDD

NEW

製薬企業等のパートナー企業の様々な研究開発ニーズに対して自社知識経験・技術に基づく解決法を提供し、共同で抗体創薬の研究開発を進め、マイルストーン収入を獲得していく事業。

創薬

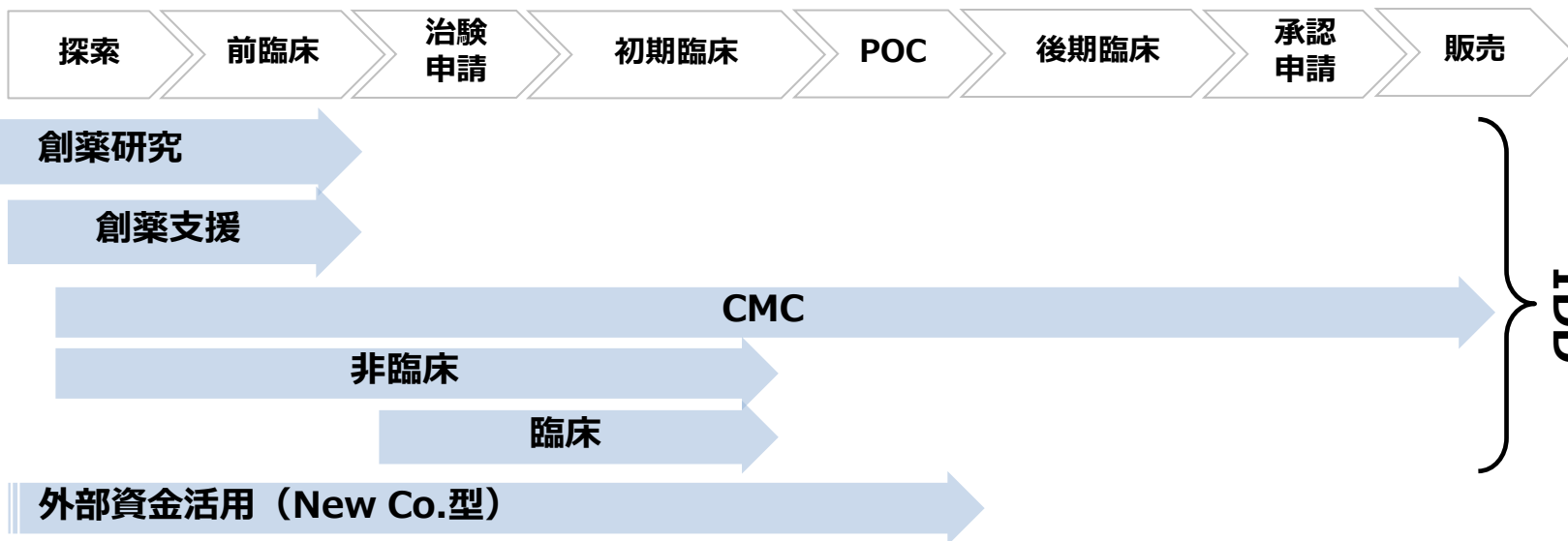
抗体創薬の自社開発または共同開発を行い、その成果物である抗体に関する特許権等の知財権を製薬企業等に実施許諾し、契約一時金、マイルストーン、およびロイヤルティ等の収入を獲得していく事業。



抗体創薬のプラットフォームビジネス

抗体創薬のプロジェクトをスクリーニング、in vitro/vivo評価、CMC、IND、初期臨床までを一気通貫で対応可能なプラットフォームを構築。カイオムの創薬研究開発の経験知識・技術を元に、パートナーに様々な課題解決法を提供する。国内企業を中心に専門性不足・リソース不足により未着手となっている有望な抗体創薬研究に関するコラボを推進することで、対価を得るビジネスモデル。

Concept generation
技術開発



国内企業を中心に専門性不足・リソース不足により未着手となっている
有望な抗体創薬研究に関するコラボを推進

製薬会社

多様化するモダリティの中で、個別モダリティの専門性の維持確保が困難に

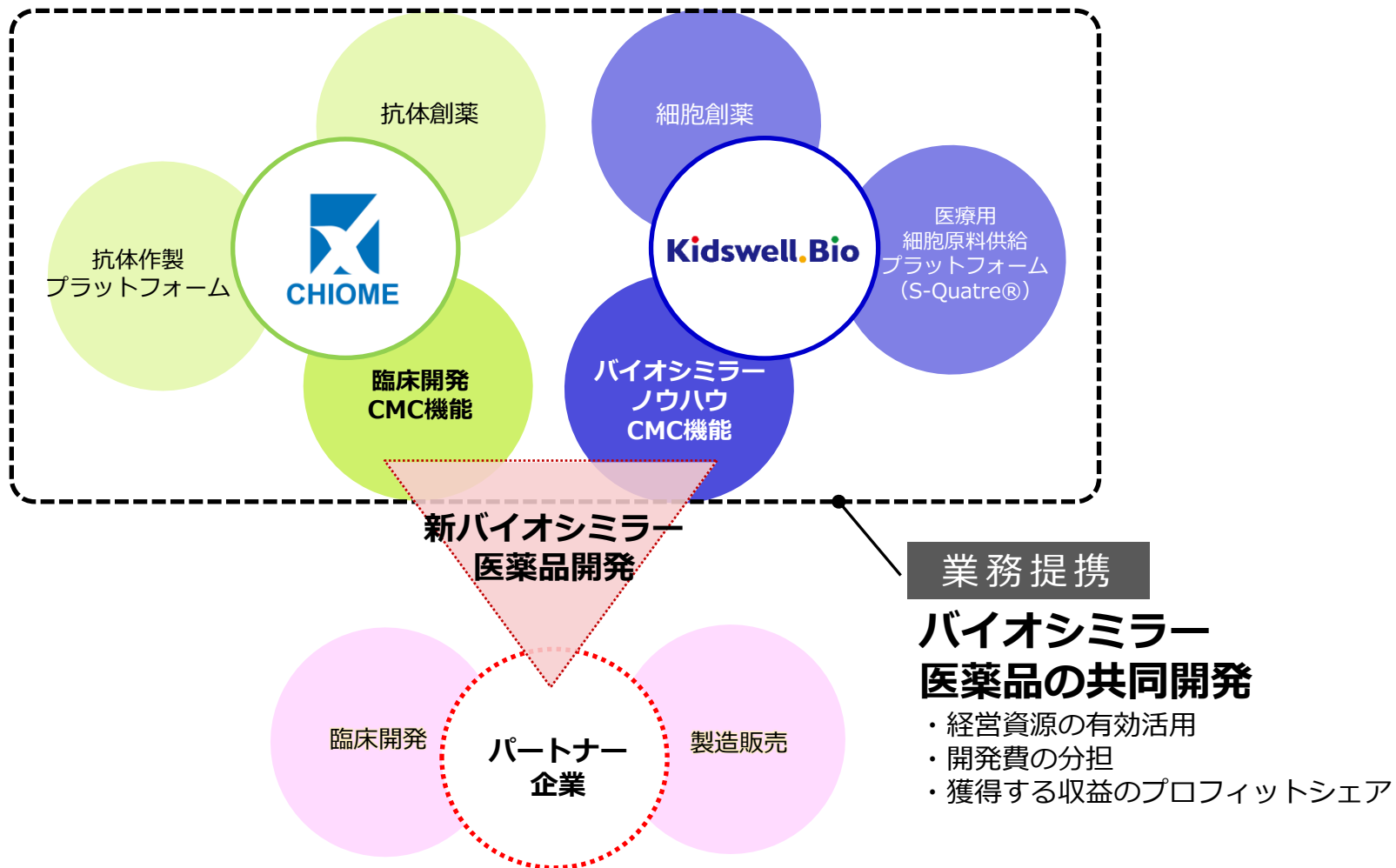
スタートアップ

適切な開発ステップの実行能力を各社で個別に整える事には限界がある

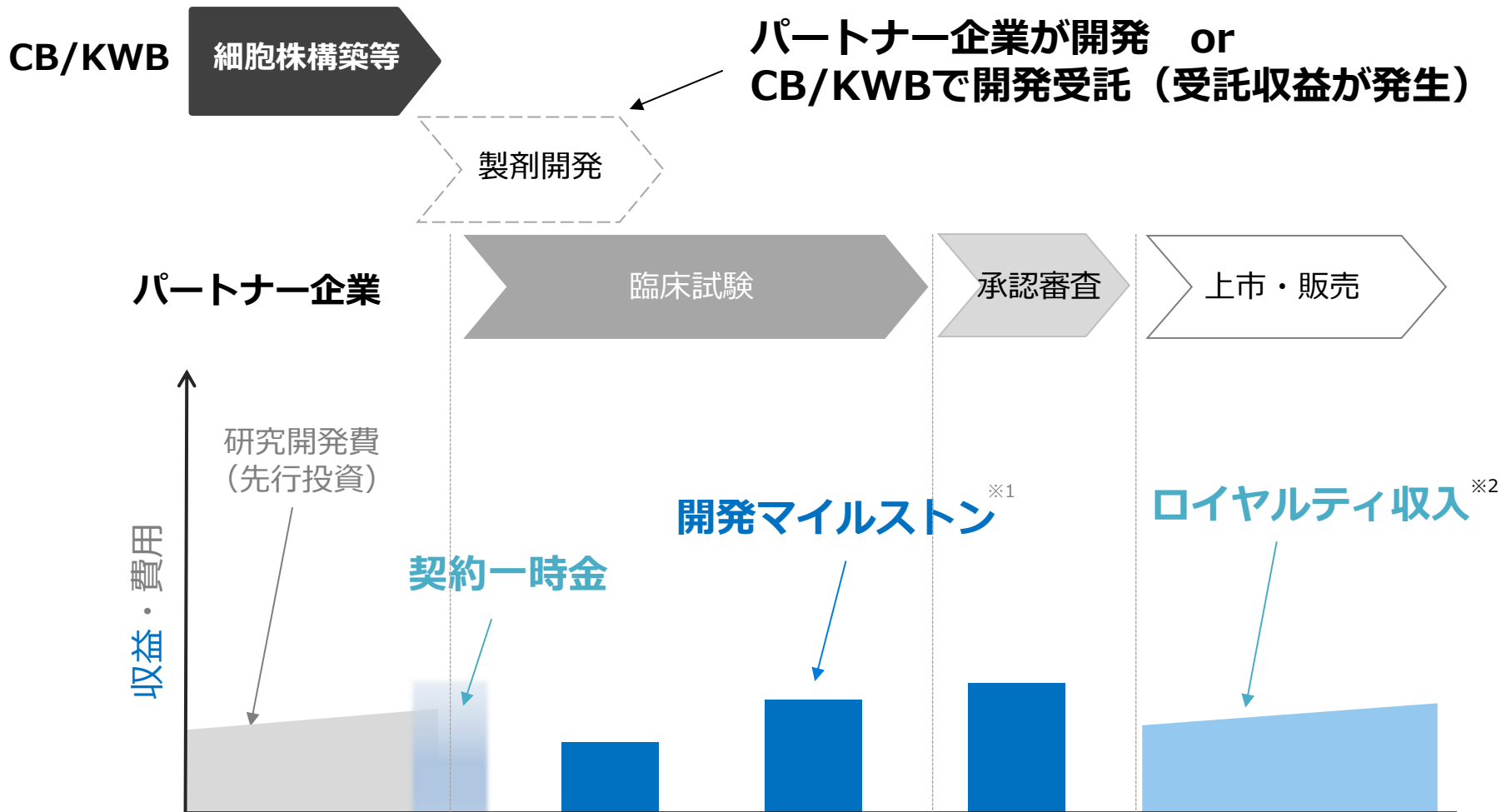
バイオシミラー医薬品ビジネスへの参入



バイオシミラー医薬品の開発実績を有するキッズウェル・バイオ社との業務提携を通じ、当社は新たにバイオシミラービジネスに参入。新たな収益源の確保と社会保障費削減につながる社会課題の解決を目指す。



バイオシミラー医薬品開発のビジネスモデル



CB : カイオム・バイオサイエンス

KWB : キッズウェル・バイオ

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

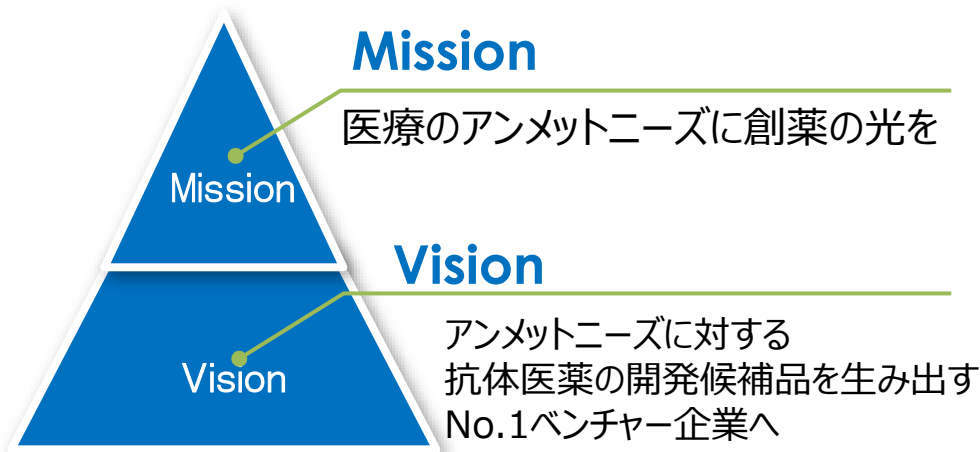
※2 ロイヤルティとは：製品が販売（上市）された後に、その販売額の一定比率を受領する収入のこと。



(参考) 事業概要



アンメットニーズに対する治療用抗体創製を手掛けるバイオベンチャー



経営方針

- 健全な経営と信頼性の確保を第一に、社会とともに成長する企業を目指す。
- 創造と科学をもってアンメットニーズに対する治療薬を開発して患者さんに貢献する。
-サイエンスと患者さんの架け橋になる-
- 外部連携により継続的なパイプライン創出と企業価値向上を実現する。

■設立	2005年2月
■上場	2011年12月 東証グロース (4583)
■代表	小林 茂
■所在地	[本社および技術研究所] 東京都渋谷区本町三丁目12番1号 [創薬研究所] 神奈川県川崎市宮前区野川本町 二丁目13番3号
■従業員	64名
■事業内容	抗体医薬品の研究開発等 (2024年12月31日現在)



< アンメット (メディカル) ニーズ >

現状の医療では満たされていないニーズ、すなわち、いまだ有効な治療法や薬剤がない疾患に対する医療ニーズのことです。今もなお、アンメットニーズが存在する疾患は数多くあり、新薬の開発が待たれています。



創薬事業

アンメットニーズの高い疾患領域における抗体創薬の自社開発または共同開発を行い、その成果物である抗体に関する特許権等の知財権を製薬企業等に実施許諾し、契約一時金、マイルストーン、およびロイヤルティ等の収入を獲得していく事業。**当社の成長を担う事業。**

創薬支援事業

製薬企業、診断薬企業および大学等の研究機関で実施される創薬研究を支援することで、サービス料等の収入を獲得する事業。主として国内製薬大手企業に対して、当社の保有する抗体創薬技術プラットフォームを活用した抗体作製・抗体エンジニアリングおよびタンパク質調製を提供する“高付加価値型受託研究ビジネス”。**安定的な収益を獲得する事業。**

事業を支えるコア・コンピタンス



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



当社の優位性

独自技術を含む複数の「抗体作製技術」と「タンパクや抗体エンジニアリングに関する高度な技術やノウハウ」を有し、これらを統合的に駆使することによって、治療標的に対する最適な治療用抗体の創製に取り組むことが可能となる

技術プラットフォームを活かした2つの事業の推進

創薬事業

成長を担う事業

創薬支援事業

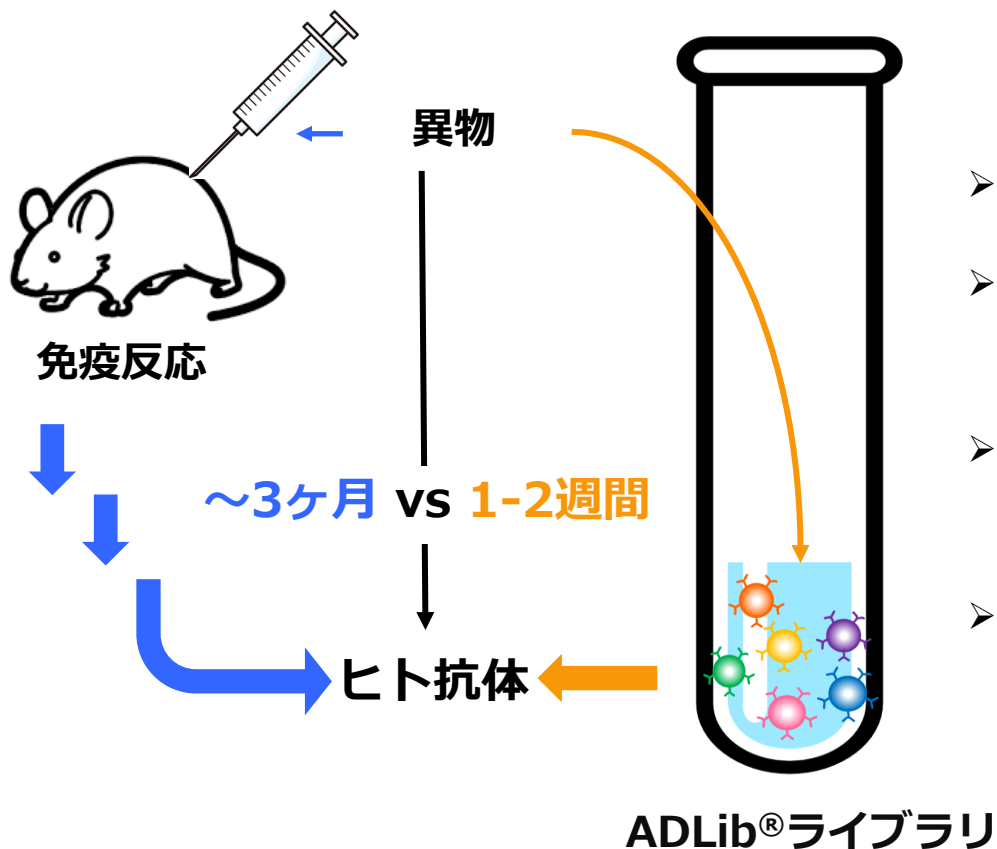
安定的な収益を獲得する事業



生体（動物）を使わず、試験管内でヒト抗体を作製する方法

動物免疫法

ADLib[®]法



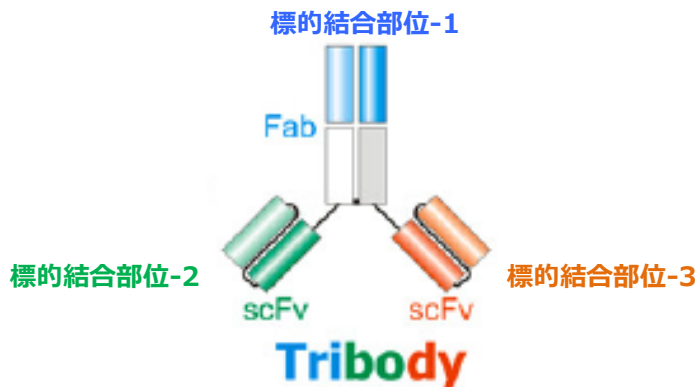
- 短時間でヒト抗体が取得できる
- 動物個体の免疫法と違い、免疫寛容の影響を受けない
- 遺伝子の自律的多様化という特徴を活用し、抗体の高親和性化まで連続でできる
- 早く抗体を取っていち早く特許出願



1つの分子に3つの結合部位があり、異なる機能の組み合わせを可能にする技術

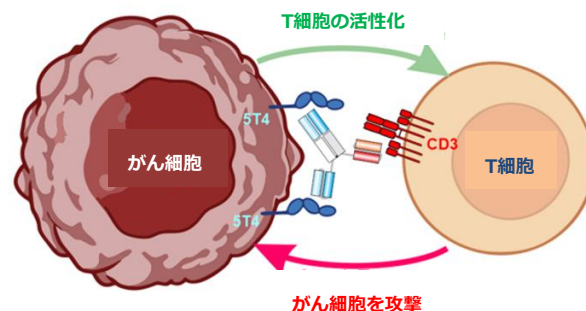
Tribody®とは

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



Tribody®を使った医薬品候補物質の創製例

自社プロダクトでの活用例 (CBA-1535)



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



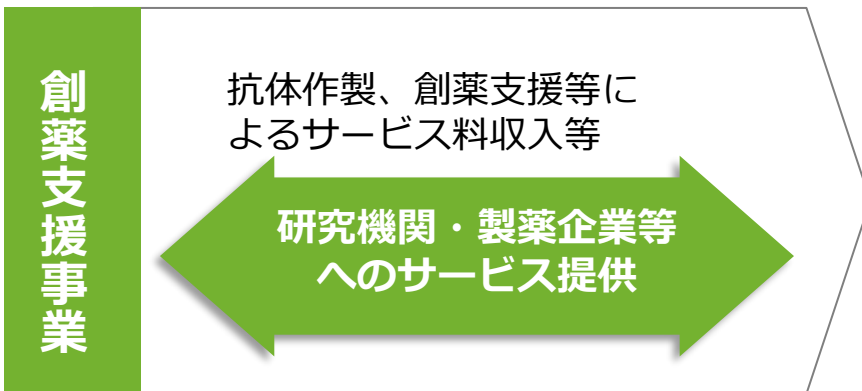
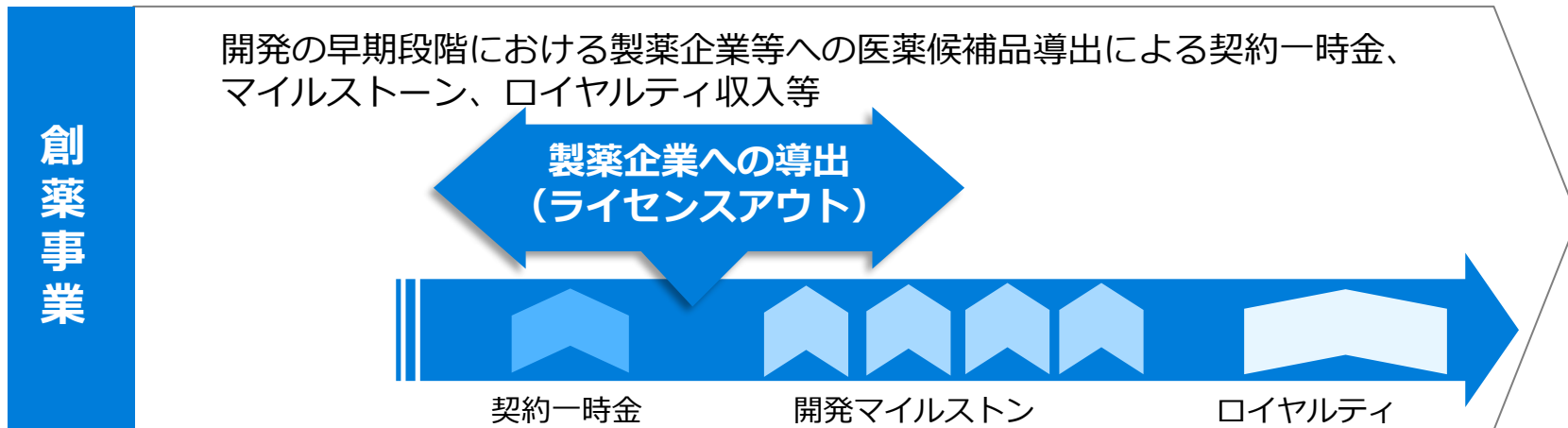
標的・結合方法により様々な応用が可能

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

収益モデル



一般的な医薬品開発の流れと当社の収益モデル

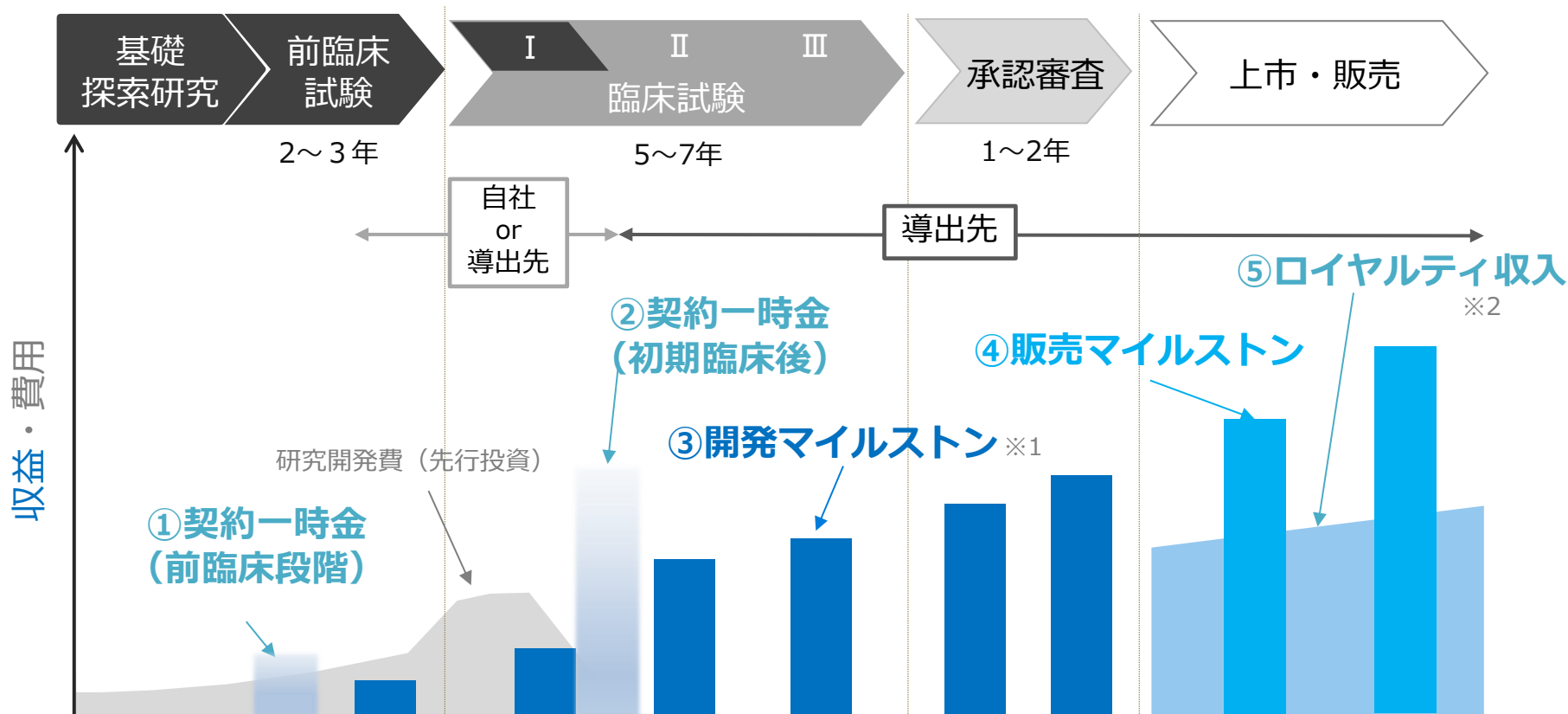


創薬支援事業における主要な取引先	契約締結年月
中外製薬株式会社	2011年 6月
Chugai Pharmabody Research Pte. Ltd	2012年 8月
田辺三菱製薬株式会社 TANABE RESEARCH Laboratories U.S.A., Inc.	2016年12月
小野薬品工業株式会社	2018年10月
協和キリン株式会社	2019年 7月
武田薬品工業株式会社	2024年 2月
販売提携	契約締結年月日
メルク株式会社	2024年 9月
富士フイルム和光純薬株式会社	2024年12月

創薬事業の（一般的な）収益イメージ



ステージの進展に伴い、受領するマイルストンの金額が増大
上市後は販売金額に一定料率をかけたロイヤルティも発生



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

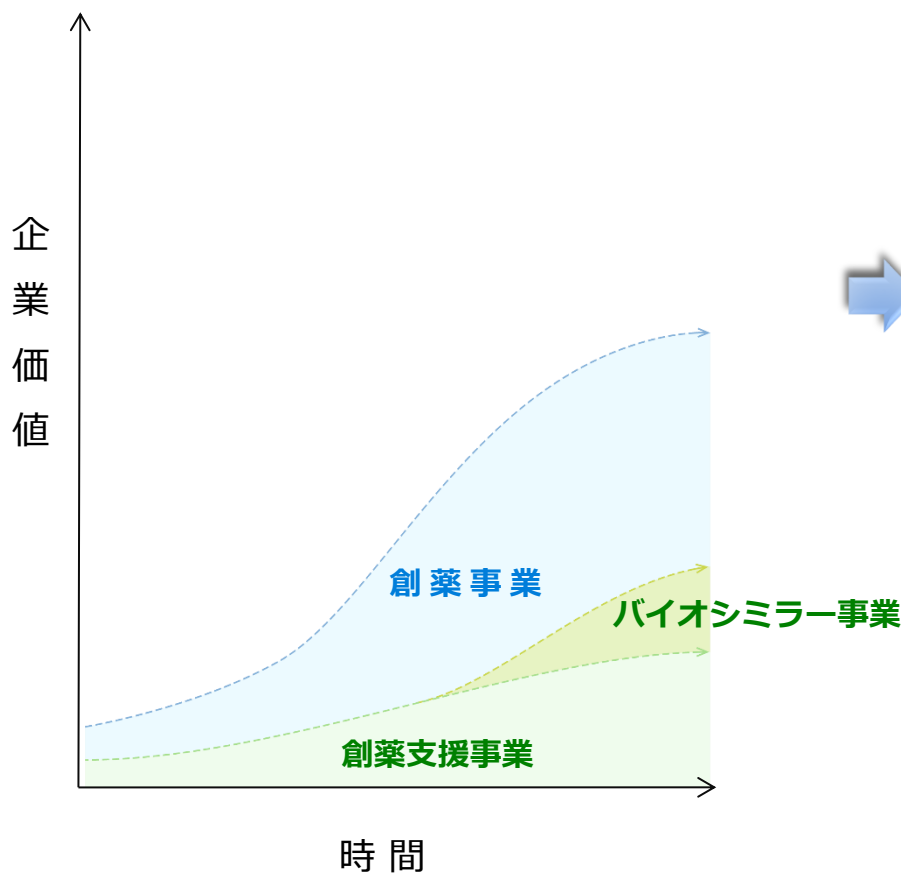
※1 マイルストーンとは：導出後の臨床試験等の進捗にともない、その節目（マイルストーン）ごとに受領する収入のこと。

※2 ロイヤルティとは：製品が販売（上市）された後に、その販売額の一定比率を受領する収入のこと。

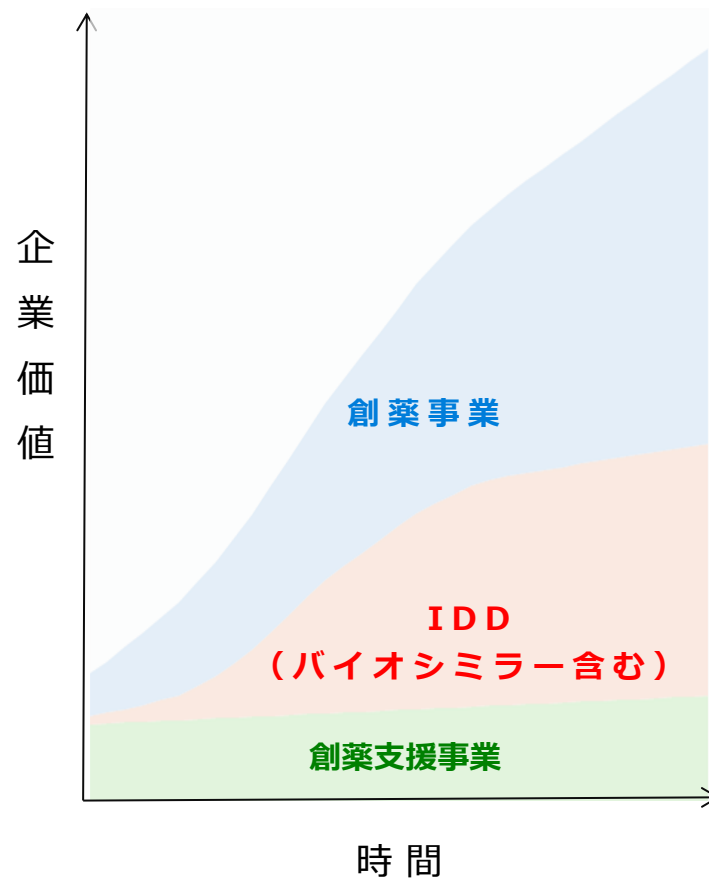


エクイティによる資金調達に過度に依存しない経営を目指し、当社のインテリジェンスを活かしたIDDビジネスを推進することで収益性を高め、当社の経営の安定化および企業価値の増大を図る。

～2024年



2025年～





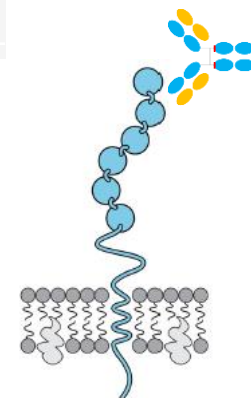
(参考) パイプライン紹介



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

ファーストインクラス

特徴	肝細胞がん等に特有のDLK-1というタンパク質を見分けて攻撃するがん治療用抗体。
ADCC活性	糖鎖改変技術 : GlymaxX (ProBioGen)
想定適応疾患	難治性の癌腫である肝細胞がん、肺がん等
期待	DLK-1は幹細胞や前駆細胞のような未熟な細胞の増殖・分化を制御し、これまでに肝臓がんをはじめとする複数のがん細胞表面においても発現し、その増殖に関与していることが明らかとなった新しいがん治療の標的になる可能性がある分子。競合品のないファーストインクラス候補抗体。
知財	日本・米国・欧州・中国他で特許成立。



臨床第1相試験 前半パート：固形がん患者さんでの安全性を評価 → 登録終了

- ・重篤な副作用の発生は無し
- ・メラノーマの患者さんにおいて腫瘍縮小を伴うSD（安定）評価が続き42ヶ月以上の継続投与を確認、現在も投与継続中

後半パート：固形がん患者さんでの安全性と有効性の評価を実施中

- ・肝細胞がん患者さんでPR（部分奏功）症例1例確認
- ・メラノーマ患者さんを対象とするパートの追加決定

解決すべきアンメットニーズ

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



グレード3以上の重篤な毒性所見は見られず、高い安全性を確認

CBA-1205投与に関連する有害事象

有害事象	投与量 (mg/kg)							合計 (n=22)
	0.1 (n=3)	0.3 (n=3)	1 (n=3)	3 (n=4)	10 (n=3)	20 (n=3)	30 (n=3)	
CBA-1205に関連する有害事象が発生した患者数	1	0	2	3	1	3	3	13
Grade 1-2	1	0	2	3	1	3	3	13
≥ Grade 3	0	0	0	0	0	0	0	0
用量制限毒性	0	0	0	0	0	0	0	0
重篤な有害事象	0	0	0	0	0	0	0	0
死亡例	0	0	0	0	0	0	0	0
投与中止例	0	0	0	0	0	0	0	0

(2024年12月現在)

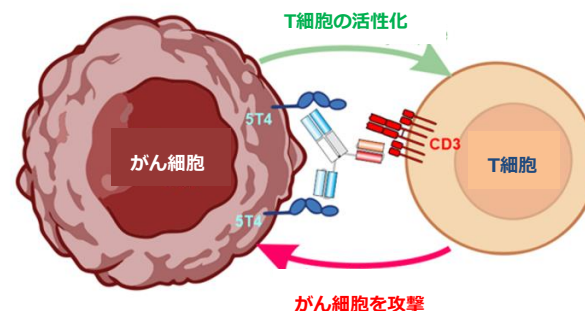
各用量において、グレード 1（軽症）またはグレード 2（中等症）の有害事象報告があったが、グレード3（重症または医学的に重大であるがただちに生命を脅かすものではない）以上の重篤な毒性所見は見られず。また、長期投与症例においても投与継続を妨げるような副作用が生じておらず、CBA-1205の高い安全性を確認。

CBA-1535 (ヒト化抗5T4・抗CD3多重特異性抗体) 標的分子 : 5T4×CD3×5T4

特徴	3つの分子を認識するTribody®技術を用いて創製したがん治療用抗体
想定適応疾患	悪性中皮腫、小細胞肺癌、非小細胞肺癌、トリプルネガティブ乳がん(TNBC)等
期待	臨床標的としての安全性が確認されている既知(公知)のがん抗原5T4と免疫細胞であるT細胞上のタンパク質CD3を標的とする多重特異性抗体。T細胞の増殖と活性化を誘導して強力な細胞傷害活性を発揮する(T Cell engager)。Tribody®としては初めての臨床開発品目であり、難治性がんに対する薬効が期待される。
知財	日本・英国・米国・欧州・中国他で特許成立。

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

治験実施施設 : 国立がん研究センター中央病院
静岡県立静岡がんセンター



解決すべきアンメットニーズ

薬剤治療の選択肢が少なく、予後の悪い悪性中皮腫を始めとした固形がんに対する有効な治療薬を提供する。

PCDC (ヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体)

標的分子 : CDCP1

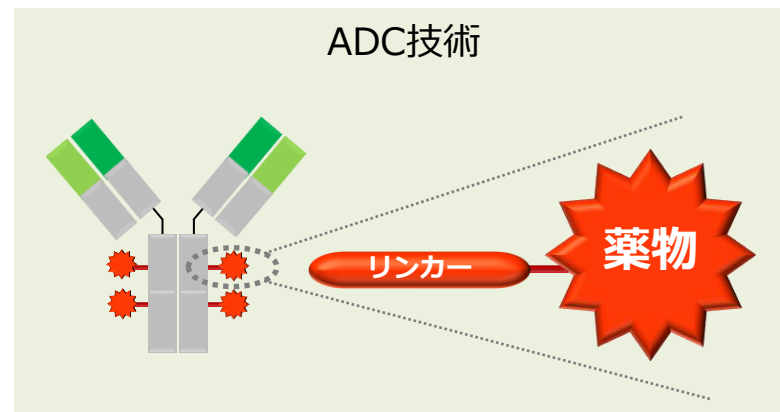
ファーストインクラス

経緯	当社が創製したヒト化抗CDCP1抗体の薬物複合体 (ADC)
想定適応疾患	固形がん
期待	CDCP1はFirst-in-classとなる標的分子であり、標準治療耐性のがん種を含む幅広い固形がんで発現している (肺、結腸直腸、膵臓、乳、卵巣がんなど)。結合特性および毒性プロファイルに基づく、広い有効域&安全域が期待される。
知財	日本・中国で特許成立。米国・欧州他で特許出願中

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

導出戦略・ターゲット

導出先企業のADC技術と当社抗体の組み合わせによる開発ニーズが高いことから、独自のADC技術を持っているADC用の抗体が欲しい製薬企業への導出活動を推進。



PTRY : 導出候補品



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

特徴

3つの分子を認識するTribody®技術を用いて創製したがん治療用抗体。
抗原結合部位の標的を①固形がんに発現が認められる 5T4②免疫細胞である T 細胞上の CD3③免疫チェックポイント阻害に関与する PD-L1 としたがん治療用抗体

想定適応疾患

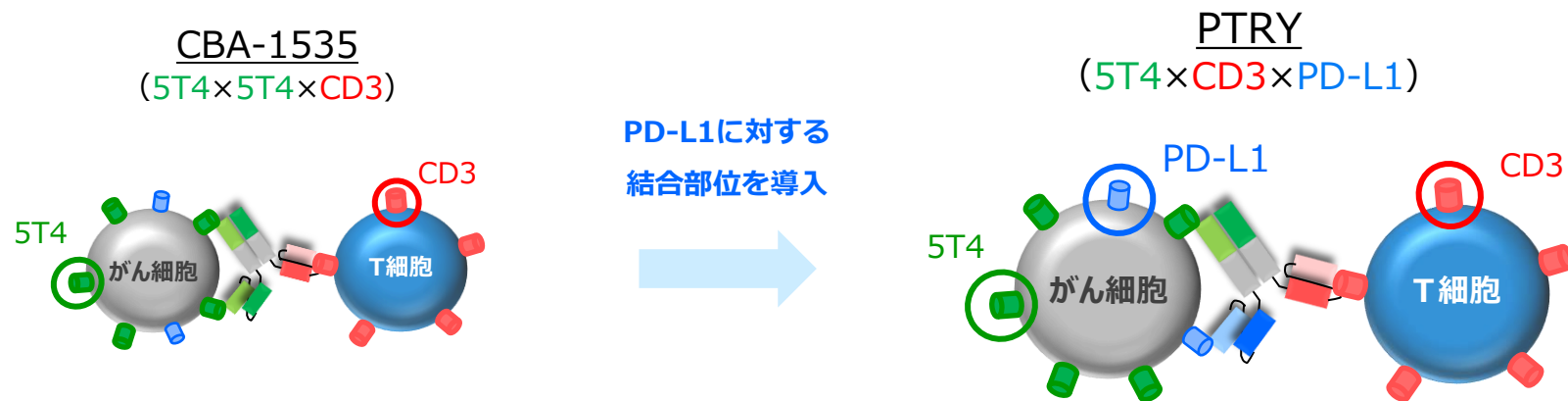
悪性中皮腫、小細胞肺がん、非小細胞肺がん、トリプルネガティブ乳がん(TNBC)等

期待

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

知財

特許出願を完了



イタリアの公的研究機関Ceinge-Biotecnologie Avanzateと行ったがん免疫療法に関する共同研究の成果が、国際的な学術雑誌であるJournal of Experimental & Clinical Cancer Research誌、及びCancers誌に掲載。
[Passariello et al. \(2022\). Novel tri-specific tribodies induce strong T cell activation and anti-tumor effects in vitro and in vivo. *Journal of experimental & clinical cancer research : CR*, 41\(1\), 269.](#)
[Manna et al. \(2023\). A Comparison of the Antitumor Efficacy of Novel Multi-Specific Tribodies with Combinations of Approved Immunomodulatory Antibodies. *Cancers*, 15\(22\), 5345](#)

PXLR : 導出候補品

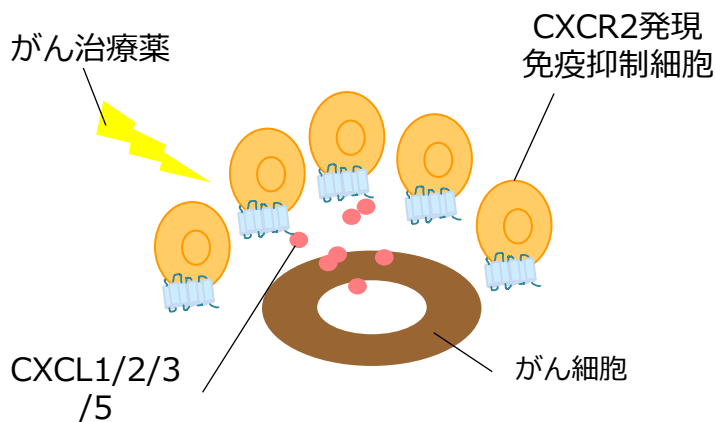


PXLR (ヒト化抗CXCL1/2/3/5抗体)

標的分子 : CXCL1/2/3/5

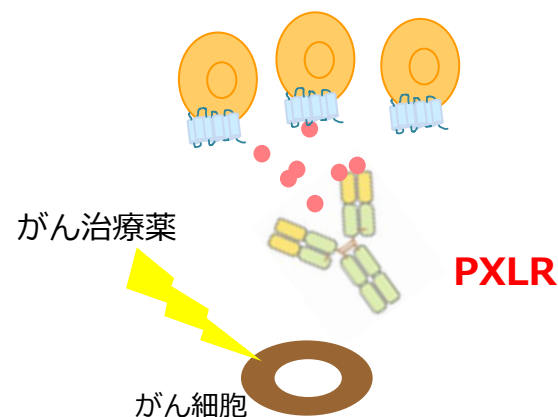
特徴	CXCR2発現細胞の走化性因子であるCXCL1/2/3/5の機能阻害抗体であり、薬剤耐性のがん微小環境を改善させるがん治療抗体
想定適応疾患	固形がん（胃がん、乳がん、卵巣がん、など）
期待	がん細胞はCXCL1/2/3/5を発現し、薬剤耐性環境の原因細胞である免疫抑制細胞を呼び寄せる。PXLR抗体の投与により免疫抑制細胞を減少させ、薬剤耐性を克服およびがんの再発抑制が期待される。
知財	特許出願を完了
共同研究先	大阪公立大学

薬剤耐性環境



→
PXLRの投与

薬剤耐性環境が減弱

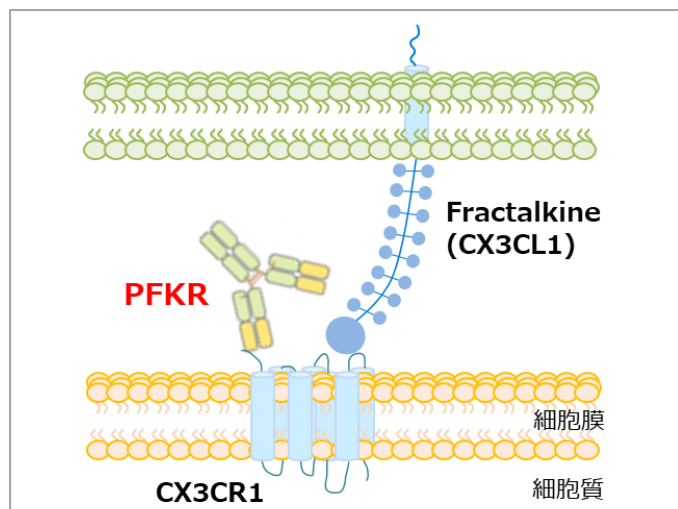


CXCL1/2/3/5はGタンパク質共役型受容体（GPCR）であるCXCR2のリガンドで、種々の腫瘍発生や形成過程に関与している。がん細胞はCXCL1/2/3/5により免疫抑制細胞をがん局所に呼び寄せ、薬剤耐性環境を構築する。PXLRはCXCL1/2/3/5に結合することで、がん細胞の薬剤耐性力を減弱させる。

PFKR (ヒト化抗CX3CR1抗体) 標的分子 : CX3CR1

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

✓ 2024年11月 旭化成ファーマ株式会社と独占的ライセンス契約を締結



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

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

共同研究先から、Eomes陽性CD4+T細胞がALSおよびアルツハイマー病の患者においても病態に関与していることを示唆する論文が2024年3月に発表された。



用語	説明
アンメットニーズ	現状の医療では満たされていないニーズのこと。有効な治療法や薬剤がない、薬剤があっても使い勝手が悪い、副作用が強い、一時的に症状を抑えても再発する、時間とともに悪化するような場合、あるいは治療費が非常に高額になるような場合のこと。
多重特異性抗体	抗体のタンパク質構造を改良・応用して、より有効性の高い創薬につなげるための技術のひとつ。通常は一つの標的しか認識することができない抗体を改変して、一つの抗体分子が複数の異なる標的に結合できるようにした抗体のこと。二つの抗原に結合するバイスペシフィック抗体や、さらに抗原結合部位を増やしたマルチスペシフィック抗体などがある。
治験計画届	医薬品医療機器等法において、保健衛生上の見地から治験の実態を把握し、治験の安全性を確保するため、治験依頼者はPMDAを通して厚生労働省に治験計画書を届け出ることが義務付けられている。最初の届出（初回治験計画届）は、PMDAにおいて30日の調査が行われ、その結果が厚生労働省に報告される。
ハイブリドーマ法	抗原を免疫した動物から抗体を作り出すB細胞を取り出し、増殖し続ける能力を持った特殊な細胞（ミエローマ）と融合させて抗体を作り続ける細胞（ハイブリドーマ）を作製する方法。
ファーストインクラス	新しい薬効としてはじめて承認される新医薬品のこと。特に新規性・有用性が高く、化学構造や作用メカニズムが従来の医薬品と異なるなど、従来の治療体系を大幅に変えるような独創的な新医薬品をいう。
マイルストーン	導出後の臨床試験等の進捗にともない、その節目（マイルストーン）ごとに受領する収入のこと。
リード抗体	ADLib [®] システム、ハイブリドーマ法、B cell cloning法などの様々な手法で作製した抗体の中から、親和性、特異性、生物活性、安定性などのスクリーニングによって見出されたヒット抗体群の中から、医薬品になる可能性を有する抗体群をリード候補抗体と呼び、これらのリード候補抗体群のうち、医薬品としてその後の最適化などのステージに進めるための抗体をリード抗体と呼ぶ。
臨床試験	臨床試験は、少数の治験参加者に投与し、薬の安全性と薬が体内に入るとどのような動きをするのかを明らかにする第1相試験（フェーズ1）、比較的少数の患者さんに投与し、薬の効き目、副作用、使い方を調べる第2相試験（フェーズ2）、並びに多数の患者さんに薬を投与し効果と安全性を確かめる第3相試験（フェーズ3）の3段階がある。初期臨床試験は主に第1相試験および初期の第2相試験のことを指す。
ロイヤルティ	製品が販売（上市）された後に、その販売額の一定比率を受領する収入のこと。
IDD	Integrated Drug Discoveryの略。当社は自社プロジェクトを臨床開発に進めている経験を有し、抗体医薬に関する探索研究、非臨床試験、CMC開発、臨床開発に至る広範な知識経験・技術を有する。こうした知識経験・技術に基づき、製薬会社等に対し、探索から臨床に至るまでの様々な抗体創薬プロジェクトの課題解決法を提供してプロジェクトを成功に導くパートナーとなる事。CMC開発など、個別領域の課題解決法の提供もIDDの一類型と考えられる。



用語	説明
ADC	抗体薬物複合体 (antibody drug conjugate) のこと。例えば、悪性腫瘍の細胞表面だけに存在するタンパク質 (抗原) に特異的に結合する抗体に毒性の高い薬剤を結合させると、そのADCは悪性腫瘍だけを死滅させることができる。このため、ADCは副作用が少なく効き目の強い薬剤となる可能性がある。
ADCC活性	抗体依存性細胞傷害活性 (antibody-dependent-cellular-cytotoxicity) のこと。抗体薬にはがん細胞の表面に発現する標的抗原に結合し抗腫瘍効果を示す直接的な作用のほかに、患者さん自身の免疫細胞を介して抗腫瘍効果を発揮しうる作用がある。そのため、抗体薬が生体内の免疫細胞をがん周囲に呼び寄せ、集まった免疫細胞を活性化することによって、より大きな治療効果を期待できることがある。このような作用をADCC (抗体依存性細胞傷害) 活性という。
ADLib [®] システム	カイオムが独自で開発した試験管内で迅速にヒト抗体を作製するためのプラットフォーム。
B cell cloning	抗原をトリやマウスなどの実験動物に免疫した後、その動物からBリンパ細胞を含む脾臓やリンパ節を取り出し、目的の抗原に結合する単一のBリンパ細胞を選択 (クローニング) する手法。
CMC	Chemistry, Manufacturing and Controls の略称で、医薬品等の原薬・製剤の化学・製造およびその品質管理を指す。
CMO	Contract Manufacturing Organizationの略称。製薬会社から医薬品 (治験薬・市販薬を含む) の製造を受託する企業のこと。医薬品を製造するためには、GMP (医薬品等の製造管理および品質管理に関する基準) をクリアする必要があり、CMOはGMPに対応できる技術力と設備を開発ライン・製造ライン共に備えている。
CRO	Contract Research Organizationの略称。製薬会社が医薬品開発のために行う治験業務 (臨床開発) を受託・代行する企業のこと。臨床試験の企画支援、モニタリング、データマネジメント、薬事申請、非臨床試験等、製薬会社との委受託契約に基づき、それらのサービスの一部または全てを提供する。
GLP	Good Laboratory Practiceの略称で医薬品の安全性に関する前臨床試験の実施の基準。安全性評価試験の信頼性を確保するため、試験施設が備えるべき設備、機器、組織、試験の手順等について基準を定めたもの。
GMP	Good Manufacturing Practiceの略称。医薬品等の製造管理および品質管理に関する基準。WHO等の国際機関や各国の規制当局が策定している最終医薬品の製造に関する規範等。



用語	説明
T細胞	リンパ球の一種で、免疫反応の司令塔として重要な役割を果たす細胞。T細胞はその機能によって、免疫応答を促進するヘルパーT細胞、逆に免疫反応を抑制するサブレッサーT細胞、病原体に感染した細胞や癌細胞を直接殺すキラーT細胞などに分類される。
T cell engager抗体	1つまたは2つの抗原結合部位でがん細胞上の標的分子に結合し、一方でT細胞に発現するCD3に結合することによりT細胞の増殖と活性化を誘導し、T細胞による強力な細胞傷害活性を発揮する抗体のこと。



医療のアンメットニーズに創薬の光を

To accelerate drug discovery and development of mAb
for therapeutics to overcome current medical unmet-needs





- 本資料は、株式会社カイオム・バイオサイエンス（以下、当社という）を御理解頂くために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。
- 本資料に掲載されている将来の見通し、その他今後の予測・戦略などに関する情報は、本資料の作成時点において、当社が合理的に入手可能な情報に基づき、通常予測し得る範囲で判断したものであり、多分に不確定な要素を含んでおります。実際の業績等は様々な要因の変化等により、本資料記載の見通しとは異なる結果を生じる可能性があります。
- 将来の展望に関する表明は、様々なリスクや不確かさを内在しております。
- 今後、新たな情報や将来の出来事等が発生した場合でも、当社は本発表に含まれる「見通し情報」の更新、修正を行う義務を負うものではありません。