

決算補足資料

平成26年3月期 第2四半期

株式会社カイオム・バイオサイエンス

平成25年11月7日



Copyright © 2013 Chiome Bioscience Inc. All Rights Reserved.

MOthers

証券コード: 4583

アジェンダ

I. カイオムのビジョン達成に向けて

- ◆会社概要
- ◆高付加価値ビジネスモデルへの転換
- ◆ビジョン達成に向けて

II. 平成26年3月期 第2四半期の概況

- ◆業績
- ◆トピックス(アライアンス・研究開発)
- ◆医療の現状と今後の課題



(独)理化学研究所発の創薬基盤技術型バイオベンチャー

- 会社名:株式会社カイオム・バイオサイエンス
- 代表者:代表取締役社長 藤原正明
- 設立:平成17年(2005年)2月
- 資本金:2,973百万円(平成25年9月30日現在)
- 従業員数:33名(その他、臨時従業員21名)
- 所在地:【本社・研究所】東京都渋谷区

2013年5月に本社・研究所を統合移転



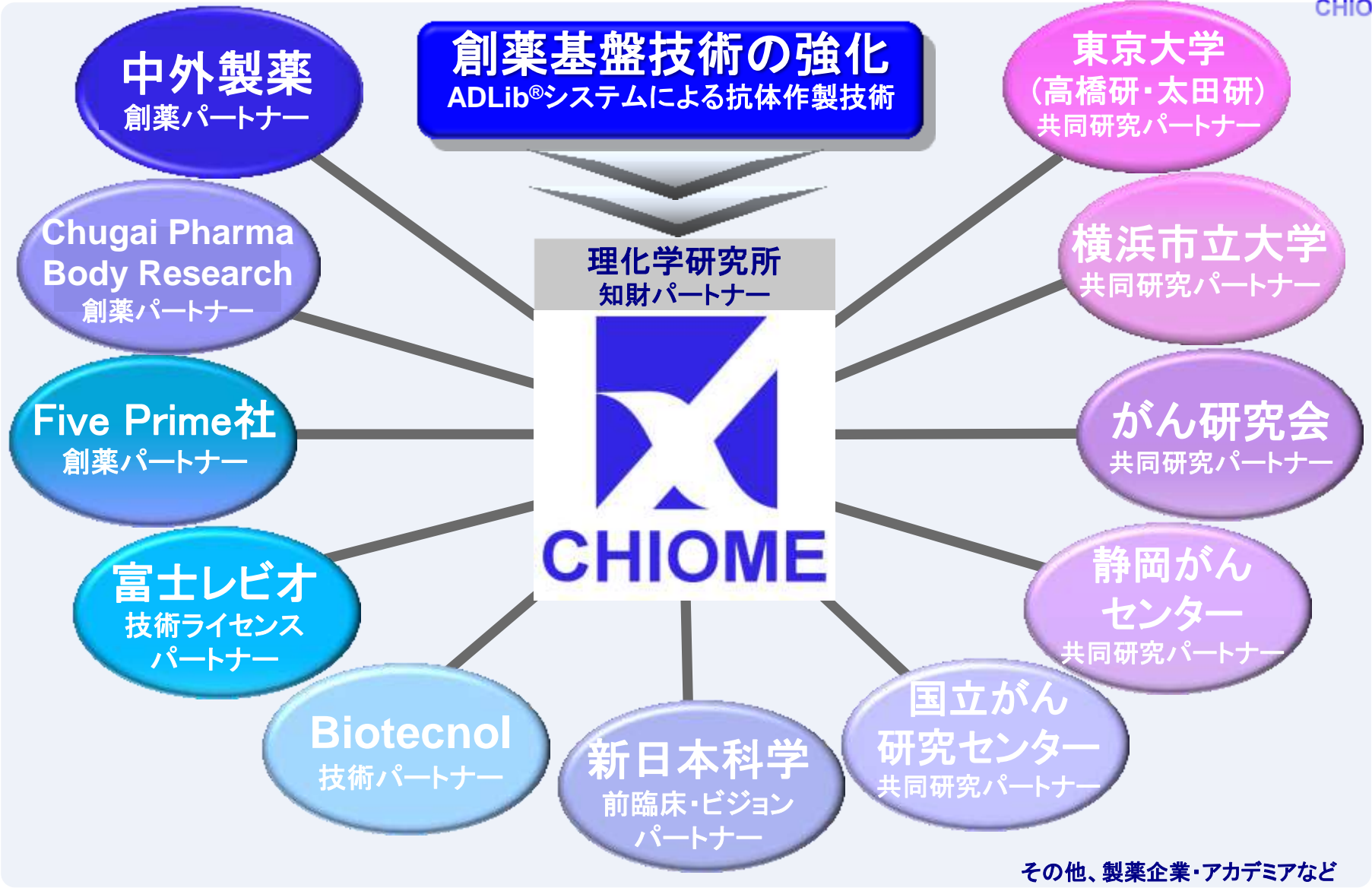
■事業内容

- 独自の創薬基盤技術であるADLib[®]システムを核とした抗体医薬品の研究開発支援及び研究開発等

■主な特徴

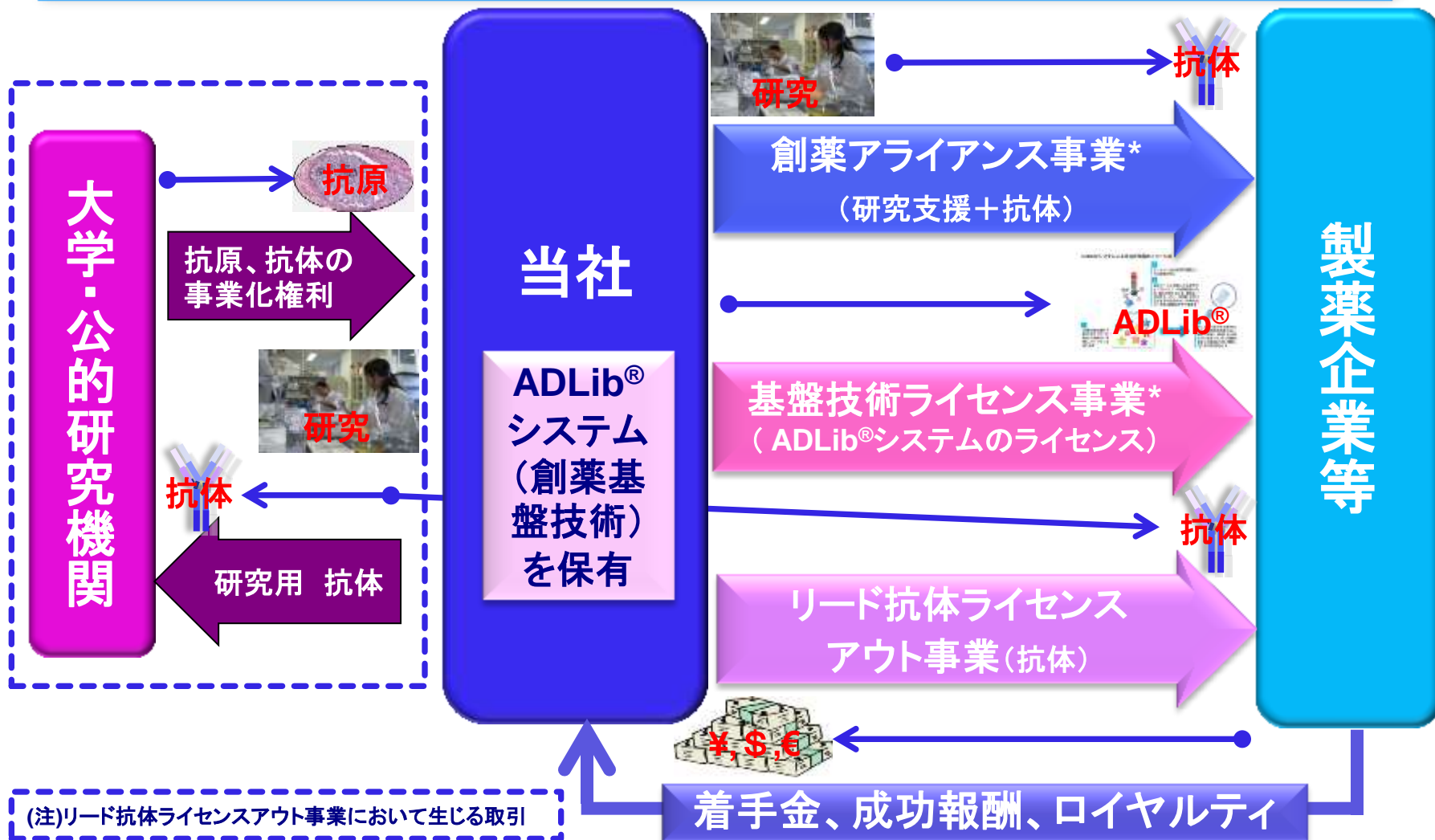
- 理研発創薬基盤技術型バイオベンチャー
- 全世界において基盤技術の独占的な事業化の権利を自社保有
- 製薬企業における研究開発・事業開発・海外取引の経験が豊富なメンバー
- 博士号保有者16名(役職員の約4割)

会社概要 : アライアンスパートナーシップ



会社概要 : ビジネスモデル(3つのコア事業)

抗体医薬品の研究開発支援及び研究開発等を実施



会社概要:事業別収益モデル

財務バランスを考慮した価値創造経営実現の為の戦略

安定収入

成功報酬



(出所)いちよし経済研究所資料に基づきカイオム作成

会社概要 : 抗体医薬品の特長・ADLib®システムの強み

次世代バイオ医薬品の中でも突出した特長・優位性をもつ

抗体医薬品の主な特長

・副作用が少ない	もともと生体内に存在する生理活性物質であり、ターゲット特異性が高いので、正常細胞・組織を傷つけず、副作用が少ない
・効果が高い	原因物質を根本的に攻撃する事で、根本的治療を狙っている
・持続性がある	血中半減期が長い
・開発期間が短い	医薬品開発において膨大な手間とコスト、期間を要する化合物最適化のプロセスが比較的少ないため、開発期間を短縮できる
・臨床開発成功率が高い	上記の通り、原因物質を特異的に攻撃し、副作用の発生が少ないため、臨床開発段階に進めば製品化の成功率が高い
・ノウハウの蓄積がある	抗体という1種の共通したタンパク質を基盤として、多種多様の医薬品創出が可能であり、製品数が増大するにつれ、開発評価系、製造法等に関するノウハウの整備が確立されている



ADLib®システム(当社抗体作製技術)の強み

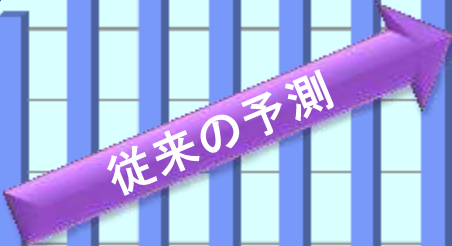
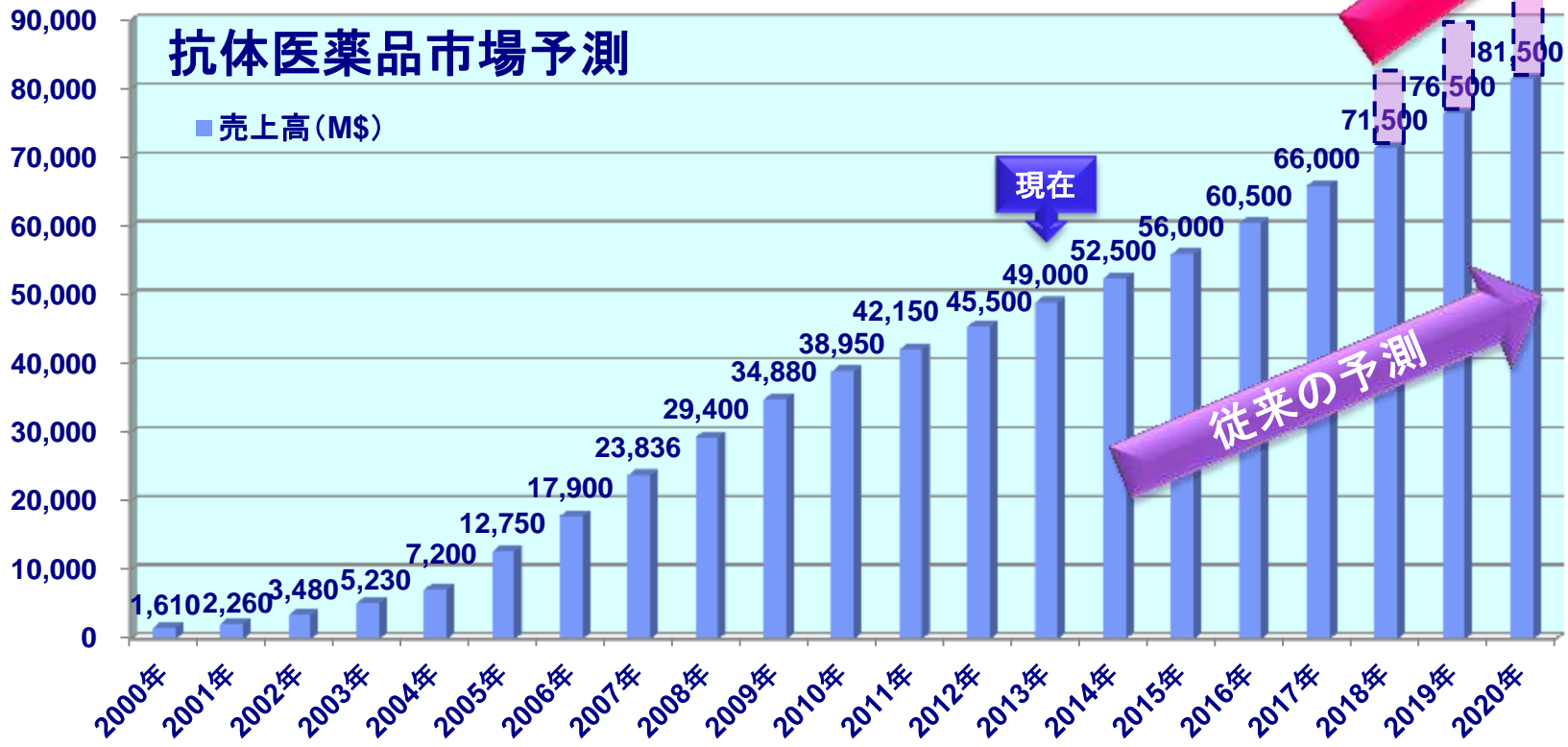
・多様性	ニワトリDT40細胞の持つ独自の多様化メカニズムにより、理論上無限の抗体多様性を有するライブラリを保有。更に完全ヒトADLib®システムの完成により更なる多様化を実現する
・迅速性	保有する多様な抗体発現細胞ライブラリの中から、ターゲット抗原に反応した抗体発現細胞を取得する仕組みであるため、僅か10日程度で抗体を作製することが可能
・困難抗原への対応	従来技術では抗体を取得することが難しかったGPCR*や進化的に保存されたタンパク質などのいわゆる「困難抗原」を独自の仕組みにより攻略することができる



会社概要：ADLib®システムの技術進展に伴う新たな市場の開拓

抗体医薬品市場の更なる拡大可能性は十分に潜在している

ADLib®システムの更なる技術進化により、これまで諦められていた「困難抗原」を連続的に攻略



(出所)シード・プランニング社資料に基づきカイオム作成

高付加価値ビジネスモデルへの転換：新戦略～技術アライアンス～

先鋭技術の組み合わせによる高付加価値リード抗体の創製

多様性・迅速性

カイオム基盤技術

困難抗原の取得

「ADLib®システム」「キメラADLib®システム」「完全ヒトADLib®システム」など

0(ゼロ)から1(イチ)を創出

抗体関連プラットフォーム

トライボディー (Biotecnol)
バイスペシフィック、
低分子抗体など

**コンピューター
予測技術**

エピトープ解析、
低分子類似体、
抗原性予測など

オープンイノベーション



異なる強みを持つ
技術同士の組み合わせ

**機能性向上
技術**

ADC (抗体-薬剤複合体)、
リサイクリング
技術など

創薬・臨床プラットフォーム

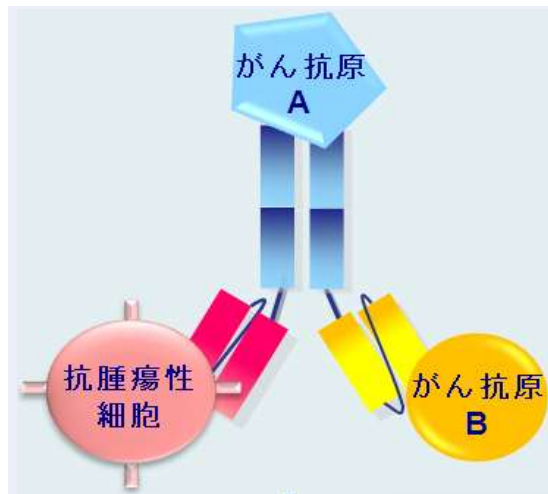
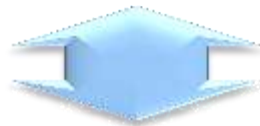
抗原探索、発現、
DDSなど

高付加価値な新規抗体治療薬を創出

がん領域における共同開発プロジェクトがスタート



通常のIgG抗体・・・1種類の抗原にしか結合しない



Tribody™

・・・3つの抗原に同時に結合できる

一つないしは二つのがん抗原に結合すると同時に、T細胞、NK細胞などの抗腫瘍性細胞にも結合する

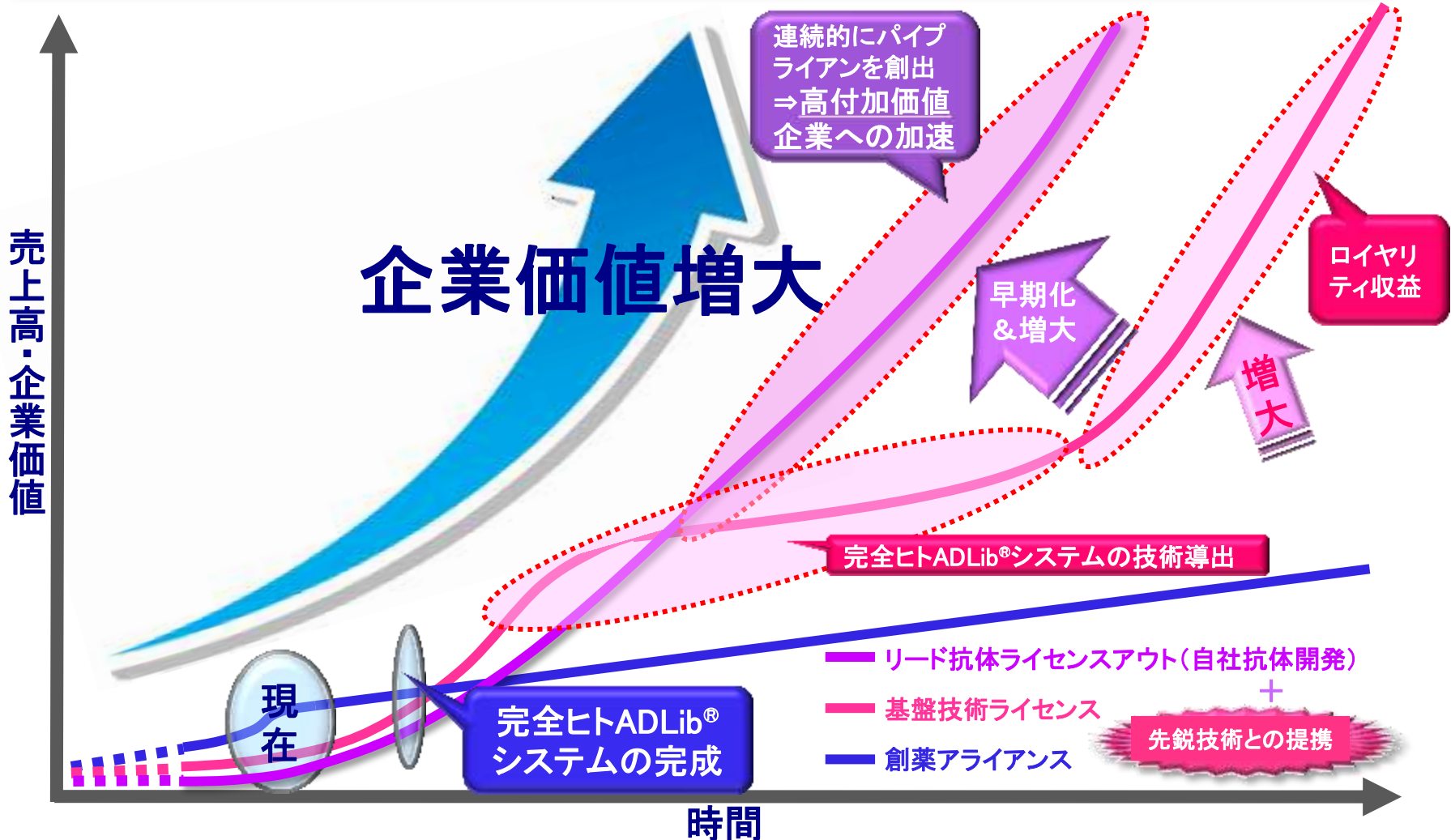
⇒がん細胞を非常に特異的に死滅させることができる

⇒**通常の抗体では達成できない新たな機能を発揮**

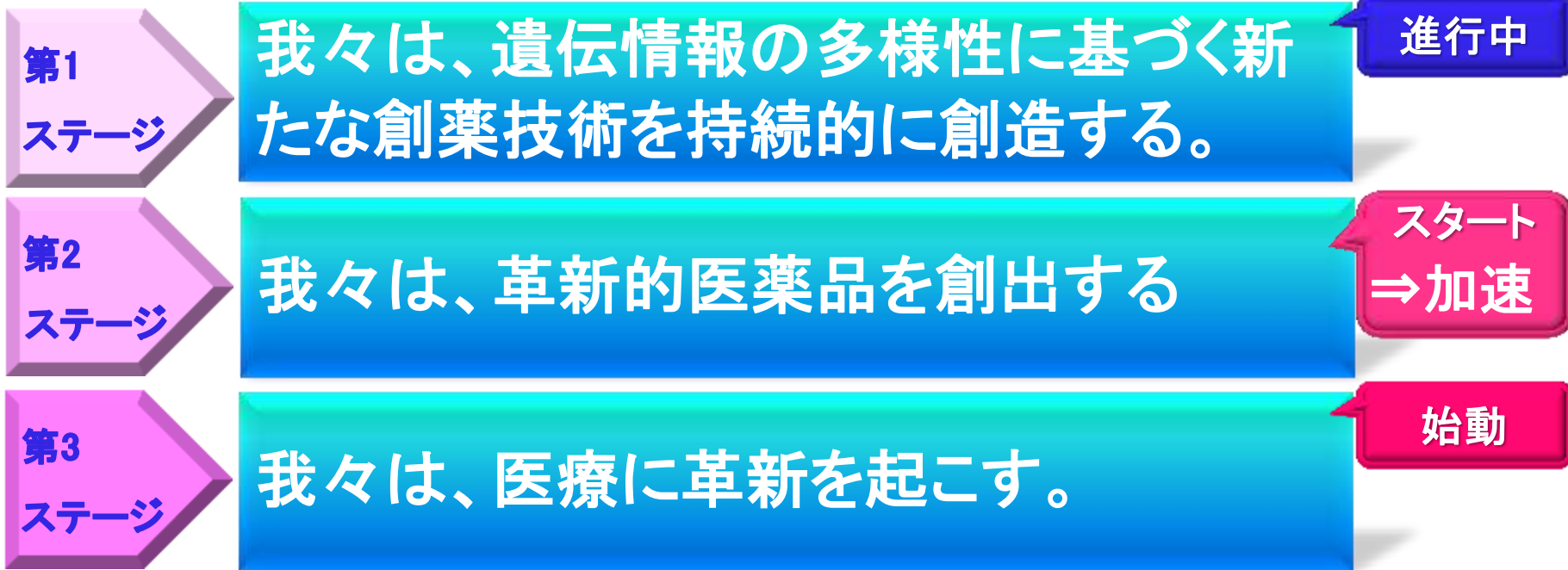
多重特異性抗体技術を持つBiotechnol社との
がん特異的な抗原に対する抗体作製および
Tribody共同開発プロジェクトがスタート

高付加価値ビジネスモデルへの転換: 長期ビジネス戦略

技術開発主体から創薬主体への転換を加速する



新たな医療を待ち望む世界中の人々のために



当社は、「より高付加価値なビジネスモデルへの転換」を目指します！

ビジョン達成に向けて:究極のオーダーメイド医療の実現

究極のオーダーメイド医療の実現に向けて

従来型の治療法

疾患はヘテロ(異なる)



同じ治療
(薬)

治療効果が低い
副作用の頻度が高い

ファーマコゲノミクス(PGx)
コンパニオン診断(CoDX)

個別化した治療法



効果



副作用



効果



副作用



効果



副作用



効果



副作用

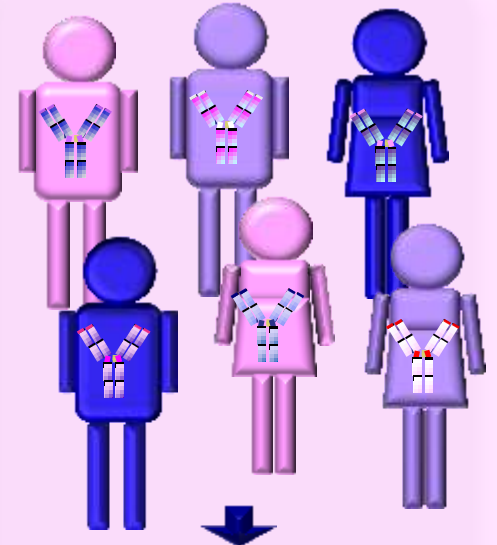


高い奏効率(※)

治療効果が期待できる、副作用が少ない患者群の層別化

完全ヒトADLib® システム

オーダーメイド医療



完全ヒトADLib® システムを用いることにより、患者毎のオーダーメイド医療を実現

これまで治療効果が見られなかった患者群に対しても高い奏効率(※)を実現

(※) 治療の実施後にがんが縮小したり消滅したりする患者の割合のこと

ビジョン達成に向けて:カイオムのビジョン

100%の治療効果を追求するヘルスケア・イノベーター

完全ヒトADLib®システム創製
(2014年)

わずか数週間でヒトに投与可能な抗体を創出可能な技術を創製する

パンデミック感染症対応
(2018年)

完全ヒトADLib®システムにより、
ワクチンを完全に代替

究極のオーダーメイド医療
(2023年)

個々の患者さんに最適な抗体を迅速に提供し、**革新的治療を実現**



人類社会への貢献

アジェンダ

I. カイオムのビジョン達成に向けて

- ◆会社概要
- ◆高付加価値ビジネスモデルへの転換
- ◆ビジョン達成に向けて

II. 平成26年3月期 第2四半期の概況

- ◆業績
- ◆トピックス(アライアンス・研究開発)
- ◆医療の現状と今後の課題



業績: 損益の状況(対前年同四半期比)

単位: 千円	平成25年 3月期	平成26年 3月期	対前年同四半期比		主要因分析 (対前年同四半期比)
	2Q累計実績	2Q累計実績	(千円)	(%)	
売上高	121,130	229,563	+108,432	+89.5	・創薬アライアンス事業 +108,875千円 ・基盤技術ライセンス事業 ▲443千円
売上原価・ 販売管理費	346,778	511,001	+164,223	+47.4	
(売上原価)	36,542	79,838	+43,295	+118.5	
(研究開発費)	152,459	179,086	+26,626	+17.5	
(その他)	157,775	252,077	+94,301	+59.8	・人件費 +32,024千円(11名増加) ・地代家賃 +20,559千円(統合移転)
営業損失	▲225,647	▲281,438	▲55,790	—	
経常損失	▲226,896	▲281,824	▲54,927	—	・有価証券利息(収益)+12,695千円 ・株式交付費(費用) +12,822千円
四半期 純損失	▲227,677	▲336,232	▲108,554	—	・事務所移転費 +37,035千円 ・法人税等調整額 +16,073千円

業績: 損益の状況(対通期予想比)

単位:千円	平成26年 3月期	平成26年 3月期		備考
	2Q累計実績	通期予想	進捗率(%)	
売上高	229,563	740,000	31.0	(内訳) ・創薬アライアンス事業 227,347千円 ・基盤技術ライセンス事業 2,215千円
売上原価 ・ 販売管理費	511,001	1,262,000	40.5	
(研究開発費)	179,086	533,000	33.5	
(その他)	331,915	729,000	45.5	
営業損失	▲281,438	▲522,000	—	
経常損失	▲281,824	▲596,000	—	
当期純損失	▲336,232	▲599,000	—	

【業績】に関するショートコメント

- ✓売上高対前年同四半期比の主な増加要因としては、中外製薬やCPRとの委託研究契約において、受注案件が増加したことによるもの。尚、中外製薬との共同研究契約については、前期同様の規模で推移している
- ✓営業損失対前年同四半期比の主な増加要因としては、研究開発費、人件費、地代家賃等の増加に伴うもの。また、短期債券の運用に伴う利息の受け取りはあったが、新株予約権の権利行使に伴う株式交付費の発生等により、経常損失が増加。更に、本社及び研究所の統合移転費用や法人税等調整額の負担増加等により、四半期純損失が増加
- ✓上記費用の増加については、当初計画には織り込み済みであり、第2四半期迄の状況としては、通期計画に対して概ね順調に推移していると考えている

トピックス:【アライアンス】株式会社新日本科学との業務提携契約の締結



高付加価値新規抗体創出とビジョンの実現を支援

平成25年5月

契約概要

契約名	業務提携契約
契約締結日	平成25年5月14日
提携理由	カイオムが目指すリード抗体の医薬品としての開発から、がんを始めとする難治疾患のオーダーメイド医療までの実現に向けた取り組みに対し、新日本科学による包括的な非臨床分野の試験実施のサポートにより、早期の事業化を推進
提携内容	新日本科学に各種抗体医薬品候補を評価するための疾患モデル動物を迅速に確立して頂くことで薬効評価を含めた非臨床試験を包括的に委託しつつ、カイオムが目指すパンデミック感染症への対応や究極のオーダーメイド医療について中長期的な構想で共同研究を進める

会社概要

事業内容	医薬品開発受託研究事業
企業情報	<ul style="list-style-type: none">◆名称:株式会社新日本科学 本店所在地:鹿児島県鹿児島市 代表者:永田良一 資本金:5,391百万円(2013年3月末) 設立:昭和48年5月18日 東証一部上場企業◆前臨床試験受託研究事業の最大手企業。臨床事業やトランスレーショナルリサーチ事業も展開し、医薬品開発過程における一貫した総合受託体制を確立。欧米や中国などにも現地法人を設立し、グローバル体制を構築◆“創薬と医療技術の向上を支援し、人類を苦痛から解放することを絶対的な使命とする”ことをミッションに掲げ、オンリーワンの事業価値を提供し続ける

(出所)新日本科学HPに基づきカイオム作成

トピックス:【アライアンス】富士レビオとの新製品に関する実施許諾契約締結

ADLib[®]システム由来の初の製品化へ大きく前進

平成25年6月

契約概要

契約名	「特許実施許諾契約(以下同契約)」
対価	ロイヤルティ収入(料率は非公開)

契約の背景

- ✓ ADLib[®]システムに関する「実施権許諾および共同研究開発契約」(平成22年9月30日付締結)に基づく研究成果により、ADLib[®]システムを使って作製した特異的抗体を含む診断薬キット製品化の目途が立った
- ✓ 上記成果は、平成25年4月18、19日に米国ボルチモアで開催された第45回 Oakridge Conference (米国臨床検査学会の技術系分会)及び、7月28日-8月1日にヒューストンで開催されたAmerican Association for Clinical Chemistry 2013年会において発表され、従来よりも100倍高い感度の診断薬キットの製品化を可能にした
- ✓ 本製品は、ADLib[®]システムから生じた成果に該当するため、平成25年6月20日に同契約を締結。製品販売に伴い、当社は「製品の売上高に応じたロイヤルティ」を受領することとなる

トピックス:【アライアンス】富士レビオとの共同研究開発期間を延長

ADLib[®]システム由来の新たな製品化を期待

平成25年6月

契約概要

契約名	「覚書」(原契約「実施権許諾および共同研究開発契約」の共同研究開発期間部分の延長)
対価	契約一時金および技術使用料

契約の背景

- ✓ ADLib[®]システム由来の特異的抗体を含む診断薬キットの製品化という成果により、原契約中に規定されている共同研究開発期間の3年間の延長(平成28年9月30日まで)に合意し、覚書を締結。本契約により、当社は「契約一時金」および「技術使用料」を受領する

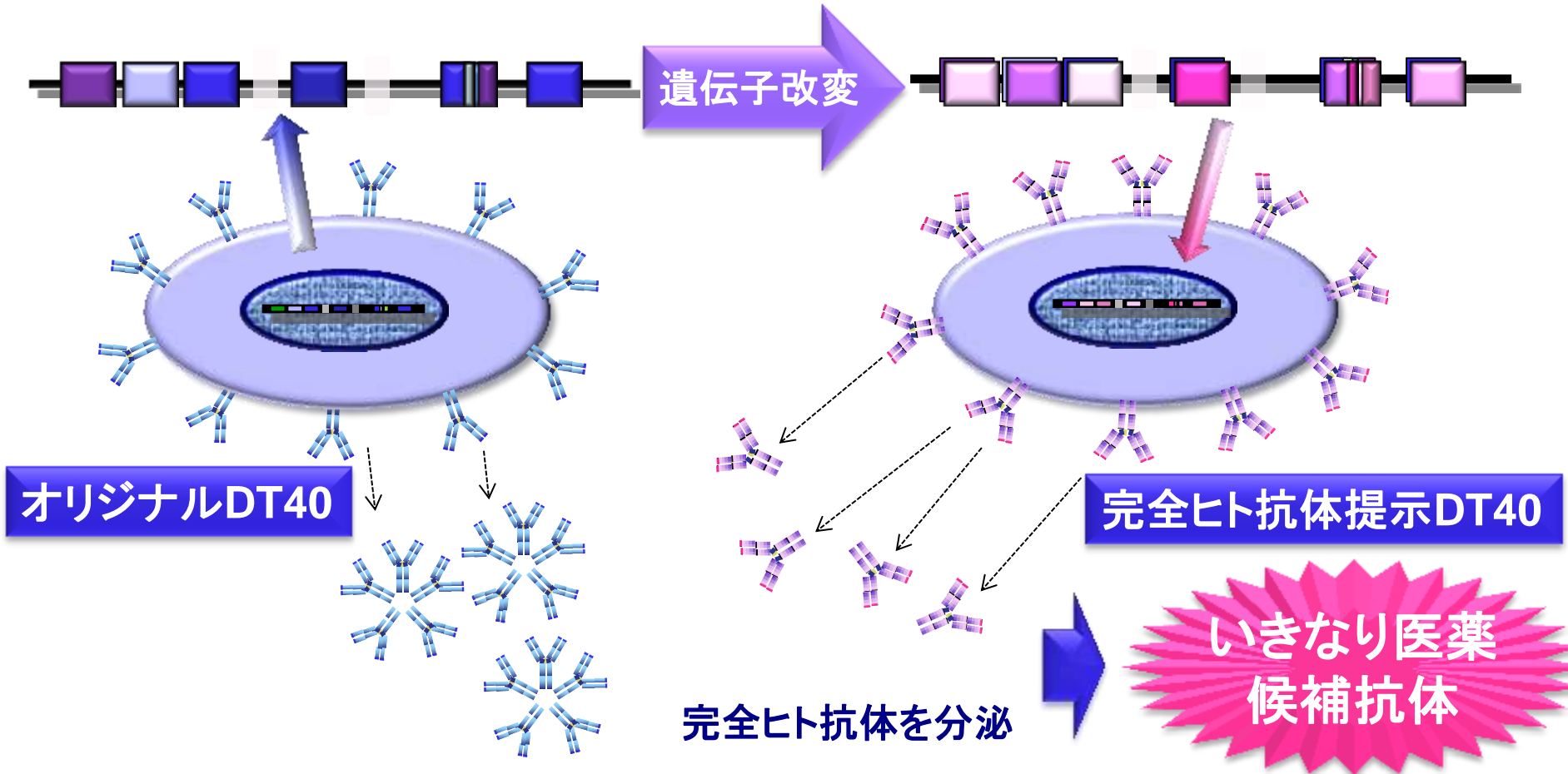
【アライアンス】に関するショートコメント

- ✓新日本科学との業務提携契約を締結【5月】⇒短期的には、各種抗体医薬品候補を評価するための疾患動物モデルの確立と薬効試験を含めた非臨床試験を包括的に委託。中長期的には、究極のオーダーメイド医療に向けての研究を共同で進めていく計画
- ✓富士レビオとの新製品（ADLib® システム由来）に関する実施許諾契約を締結【6月】⇒販売開始後、当社は「製品の売上高に応じたロイヤルティ」を受領
- ✓富士レビオとの共同研究開発期間を3年間延長【6月】⇒本契約により、当社は「契約一時金」および「技術使用料」を受領
- ✓抗セマフォリン3A抗体の導出については、国内外の製薬企業への紹介を継続中 ⇒薬効データを追加することによって興味を示す企業を選定する予定
- ✓Glaxo Group Limited(GSK)との検証的契約が終了⇒当初設定した最初のマイルストーンを達成し、その対価を受領。今後も同社とのアライアンスや技術ライセンス等の可能性について継続的にコンタクトを続けていく予定

トピックス:【研究開発】完全ヒトADLib[®] システムの構築 (概要)

完全ヒトADLib[®]システムの確立に向けた取り組み

➤ニワトリ抗体遺伝子をヒト抗体遺伝子に置換してADLib[®]システムを作動させる

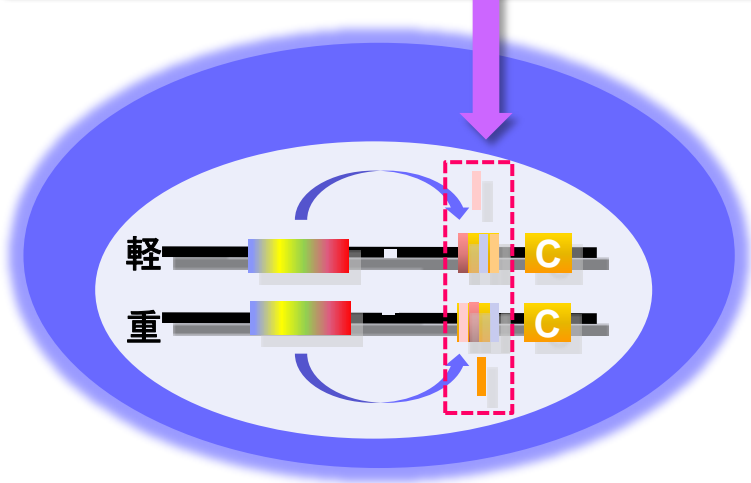


トピックス:【研究開発】完全ヒトADLib® システムの構築

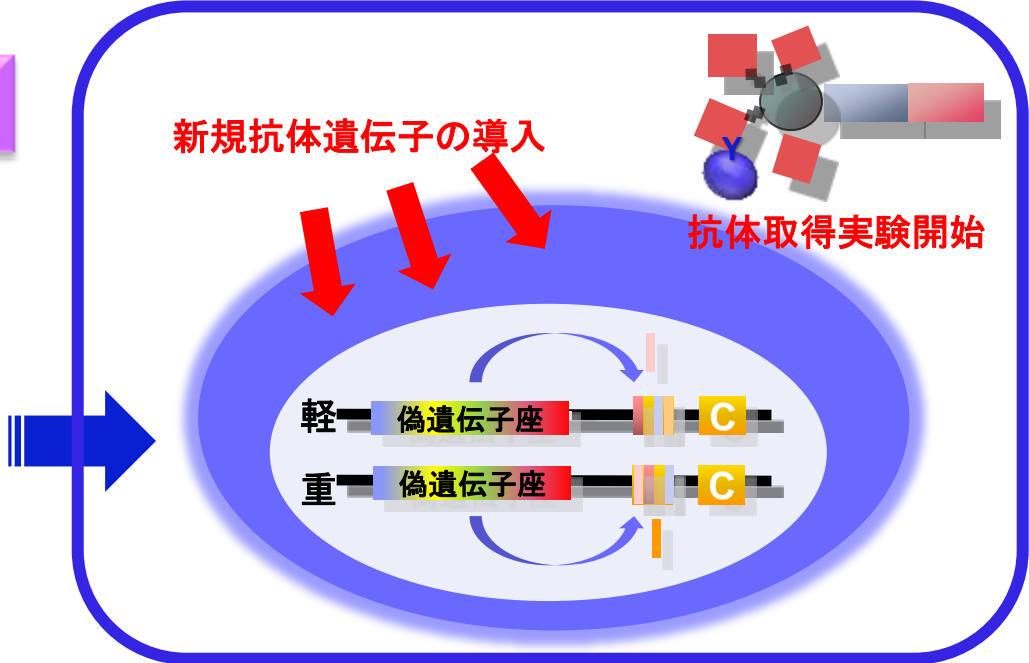
実用化ヒトライブラリの開発

- ✓ ヒトライブラリの抗体取得実験への導入
- ✓ 新規抗体遺伝子の導入を実施中

ヒト抗体配列の多様化を確認



完全ヒト抗体ライブラリプロトタイプ



完全ヒト抗体ライブラリ

トピックス:【研究開発】完全ヒトADLib®システムの構築スケジュール

平成25年(2013年)3月迄の実績

GC再現性とIgG産生の確認

重鎖・軽鎖GC検証細胞株



ヒトIgGを産生



軽鎖、重鎖双方の抗体遺伝子と検証用偽遺伝子を導入した細胞株で、相同組換えが起こり、ヒトIgGが産生されることを確認

軽鎖GCを検証



【平成24年11月】
重鎖GCを検証



【平成24年12月】

トリIgMを産生



オリジナルDT40細胞株

用語説明



トリIgM抗体
遺伝子配列



ヒトIgG抗体
遺伝子配列



偽遺伝子配列
(トリ抗体)



ヒト抗体検証用
偽遺伝子配列



偽遺伝子配列
(ヒト抗体)

GC

Gene
conversion
(相同組換え)

優れた多様性能を有する優良細胞株の作製・選抜

新たな遺伝子導入方法を採用



優良株



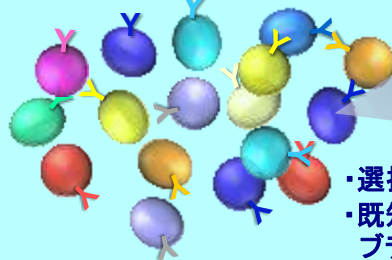
プロトタイプ完成

平成25年6月完成

完全ヒト抗体ADLib®システムの実用化

完全ヒト抗体ライブラリ

優れた多様性を示すライブラリ



- ・選抜された優良株を用いた多様化の実施とその評価
- ・既知の困難抗原を用いた抗体セレクションによるライブラリの実用化の検証

平成26年3月完成目標

トピックス:【研究開発】リード抗体ライセンスアウトに向けた共同研究状況



各共同研究プロジェクトが順調に進展中

パートナー	抗体作製	機能検証	薬効検証	非臨床試験
横浜市立大学・五嶋研	抗セマフォリン3A抗体			
東京大学・高橋研				
静岡がんセンター				
がん研究会				
国立がん研究センター				
Biotechnol				

トピックス:【研究開発】高親和性抗体の作製：技術の確立と実用化

継続的な技術改良への取り組みによる大きな成果

高親和性抗体獲得

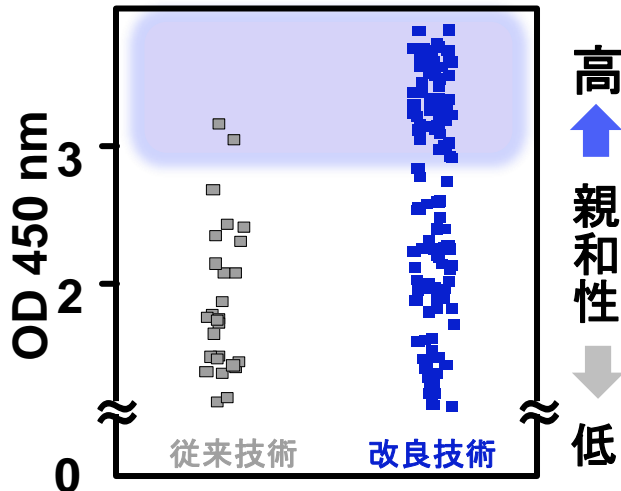
= ライブラリ品質の向上

+

セレクション技術の改良

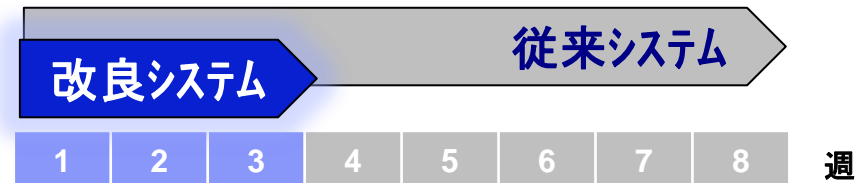
高親和性抗体獲得技術の確立

技術改良により親和性の高い抗体を直接得る確度が飛躍的に改善



高親和性抗体獲得期間の大幅な短縮

薬剤処理によるさらなる多様化作業を省き高親和性抗体獲得期間を大幅に短縮



抗体セレクション技術の改良により、高親和性抗体獲得効率の飛躍的向上と獲得期間の大幅な短縮を実現

トピックス:【研究開発】高品質抗体作製手法のシステム化

高品質抗体を連続的に生み出すシステムが完成

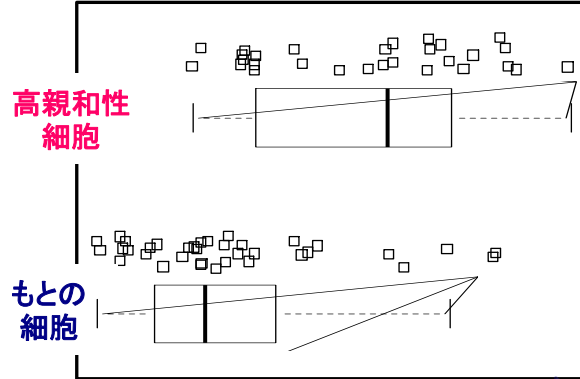
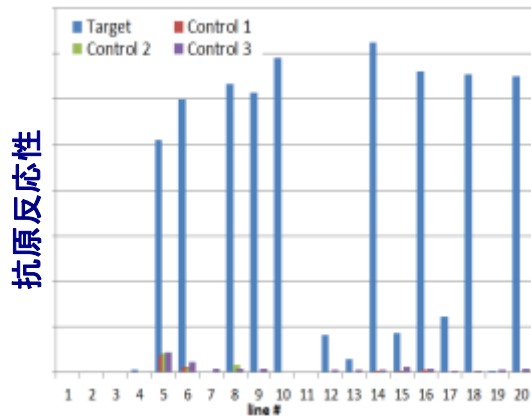
通常ADLib®



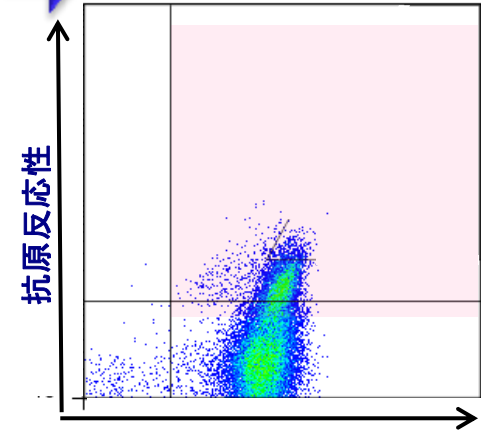
改良セレクション



細胞の単離



抗原反応性⇒⇒⇒強い



繰り返すことで親和性・機能性が向上

これまで開発を行ってきた高親和性細胞を濃縮する改良セレクションを活用して、高品質抗体を連続的に生み出すシステムが完成

⇒共同研究案件などにおいて既に実施中

さまざまな抗体スクリーニング手法

ELISA, FCM, 機能性スクリーニング etc.

【研究開発】に関するショートコメント

- ✓『完全ヒトADLib® システムの構築』：6月に完成したプロトタイプ細胞株に、より多数の偽遺伝子座を導入。更に、新規抗体遺伝子を導入することで、より実用性の高いライブラリを構築中
- ✓『治療用抗体の研究開発』：抗セマフォリン3A抗体は、新たな有効性を示す薬効データの取得に向けて、各種疾患とセマフォリン3A分子との関係に関する探索研究の準備を進めている。また、新たな治療用抗体の獲得を目指して複数の研究機関との共同研究が順調に進行中。がん領域における候補抗体検体の有効性についての探索研究も開始。更に、Biotecnolや新日本科学との提携により、新規機能抗体の開発を効率的に推進する体制が整いつつある
- ✓『高親和性抗体の作製』：ライブラリ内におけるより多くの細胞から高親和性抗体を単離するための研究開発を推進し、独自の手法の確立と実用化を達成。更に、これまで開発を行ってきた高親和性細胞を濃縮する改良セレクションを活用して、高品質抗体を連続的に生み出すシステムが完成

医療の現状と今後の課題

完全ヒトADLib[®]システムによって、課題の解決を目指す！



新たな治療法が必須

倫理性と透明性

Ethics & Transparency

進化と創造

Evolution & Creation

交差と交流

Chiasma & Global Exchange

常に人命を最優先に考え、健全で誰からも愛される企業に！
個人と企業のたゆまぬ成長により、常に未来を創造する企業に！
地域と領域を超えた可能性を追求し続ける企業に！



本資料の取り扱いについて

- 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。