



会社ご紹介資料

2024年9月版

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、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。

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

当社は、各パイプラインの状況ごとにリスクとリターンを勘案して、最適の事業モデルを選択していく考えです。

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。

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。

皆様には引き続き一層のご支援ご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。

2024年9月

株式会社キャンバス 代表取締役 河邊拓己



キャンバスは、自社創出・複数の臨床開発パイプラインを有する
抗がん剤研究開発に特化した創薬企業です

会社名	株式会社キャンバス
	英文名： CanBas Co., Ltd. 証券コード： 4575
代表者	河邊 拓己（代表取締役社長 M.D., Ph.D.）
本社	静岡県沼津市大手町2-2-1
設立年月日	2000年1月18日
事業内容	抗がん剤の研究開発
従業員	12名 うち 研究開発部門 9名（派遣等による専従者1名含む） 管理部門 3名

経営チームメンバー

業務執行取締役



河邊拓己（かわべ たくみ）代表取締役社長

内科医、医学博士。京都大学大学院分子医学系専攻修了（免疫研究所所属）。京都大学ウイルス研究所助手、ワシントン大学（セントルイス）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）取締役最高執行責任者兼研究開発部長

中外製薬で臨床開発等に携わった後に金融業界へ転じ、三菱UFJ証券（現三菱UFJモルガン・スタンレー証券）および三井住友アセットマネジメント（現三井住友DSアセットマネジメント）で医薬品セクターアナリストを歴任。2020年当社に入社、研究開発部長。2021年に取締役就任、最高執行責任者を兼任。

取締役監査等委員

小宮山靖行（こみやま やすゆき）

住友銀行（現三井住友銀行）勤務を経て社会保険労務士として2004年に独立。2016年社会保険労務士法人みくりや社中を設立、代表就任。2016年に当社取締役監査等委員就任。

白川彰朗（しらかわ あきら）

日本合同ファイナンス（現ジャフコグループ）、ジャフコ公開コンサルティングでVC投資とIPOコンサルティングに従事した後、1998年インテリジェント・キャピタルゲイトを創業し社長就任。2006年当社非常勤監査役就任、2016年に取締役監査等委員就任。

古田利雄（ふるた としお）

篠崎芳明法律事務所（現篠崎・進士法律事務所）を経て1993年古田利雄法律事務所（現弁護士法人クレア法律事務所）を設立し代表弁護士就任。2007年当社非常勤監査役就任、2016年に取締役監査等委員就任。モダリス取締役監査等委員を兼任。

SAB（科学顧問会議）

Daniel D. Von Hoff, M.D., F.A.C.P.

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 ダナファーマー癌研究所副所長（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）



キャンバスの強み がん免疫に着目したパイプライン戦略

中長期の企業価値の源泉として重視

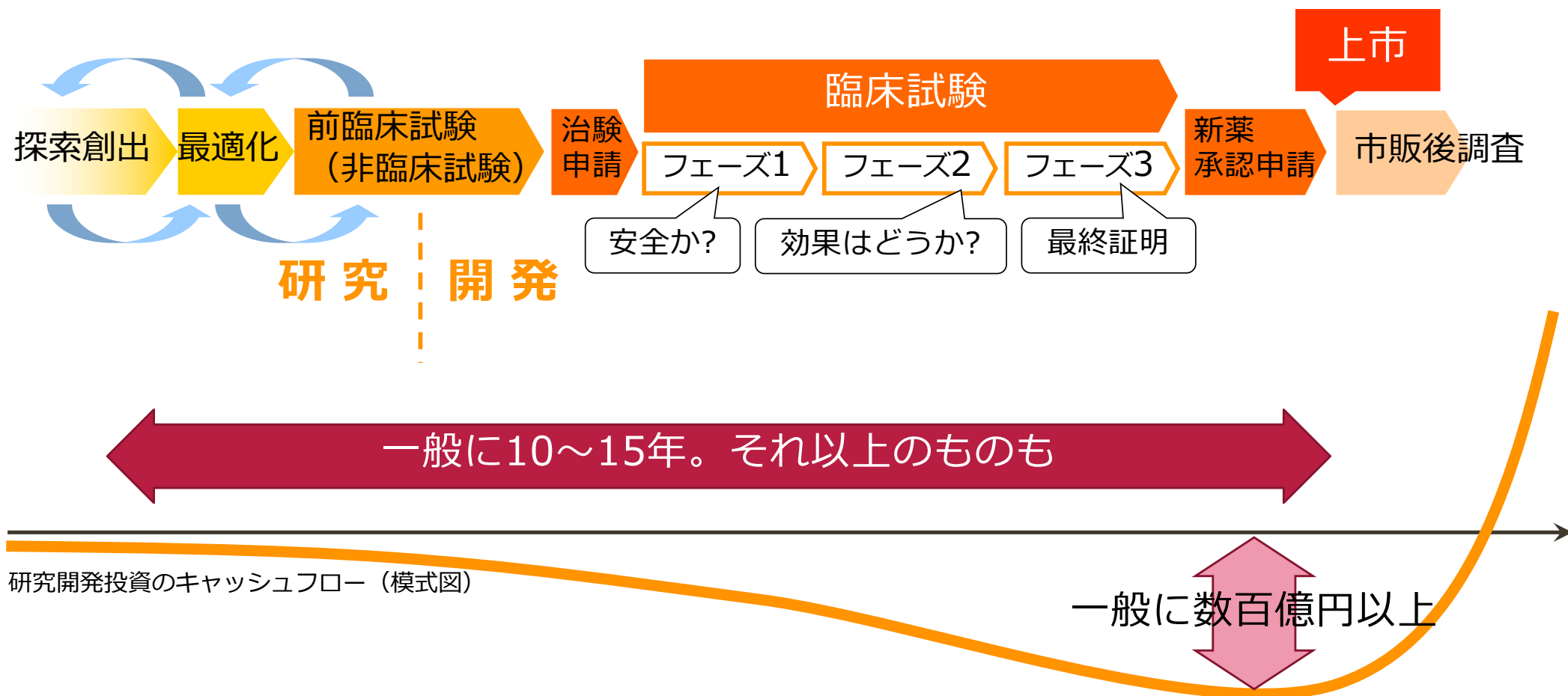
	探索・創出	最適化	前臨床試験	臨床試験	提携・導出 共同研究等
CBP501 創薬パイプライン型展開			第2相試験完了 主要評価項目達成 米国第2b相試験開始承認取得	欧州第3相試験準備	
CBS9106 創薬基盤技術型展開	前臨床試験終了し導出済み			第1相試験完了	Stemline社
CBT005 NEXTプロジェクトから創出 がんの「治癒」を目指す 新たな免疫系抗がん剤	前臨床試験準備				日本大学
CBP-A08 CBP501の系譜に属する ペプチド型免疫系抗がん剤	最適化終了				
IDO/TDO阻害剤 ほか※					静岡県立大学 ほか

※ 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）

一般的な創薬の流れと開発投資・時間軸

「創薬」の流れ



創薬企業の2つの事業モデル

*二者択一ではなく、それぞれに多様なバリエーションがあります。

研究開発投資のキャッシュフロー（模式図）

創薬パイプライン型
（自社で承認近くまで開発）

創薬基盤技術型
（比較的早期に製薬企業等へ導出）

☒ ポジティブ面

- 後期開発リスク（資金調達含む）を導出先に転嫁
- 一時金・マイルストーンで早めの収益が実現

☒ ネガティブ面

- 開発進行の主導権が導出先へ移行
- 利益分配への発言機会小 = 獲得機会・比率の毀損

☒ ポジティブ面

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

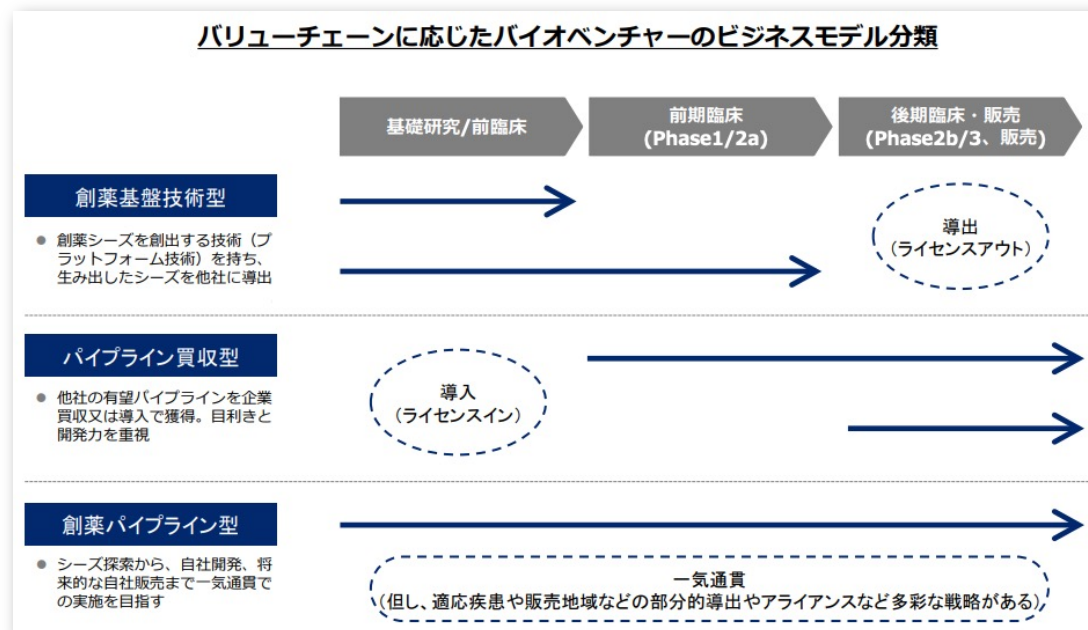
☒ ネガティブ面

- 後期開発に伴うリスク（資金調達含む）の保有
- 一時金など収益実現までの期間が長期化

創薬パイプライン型とは(1) 経済産業省『バイオベンチャーのビジネスモデルと資金調達のあり方』

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

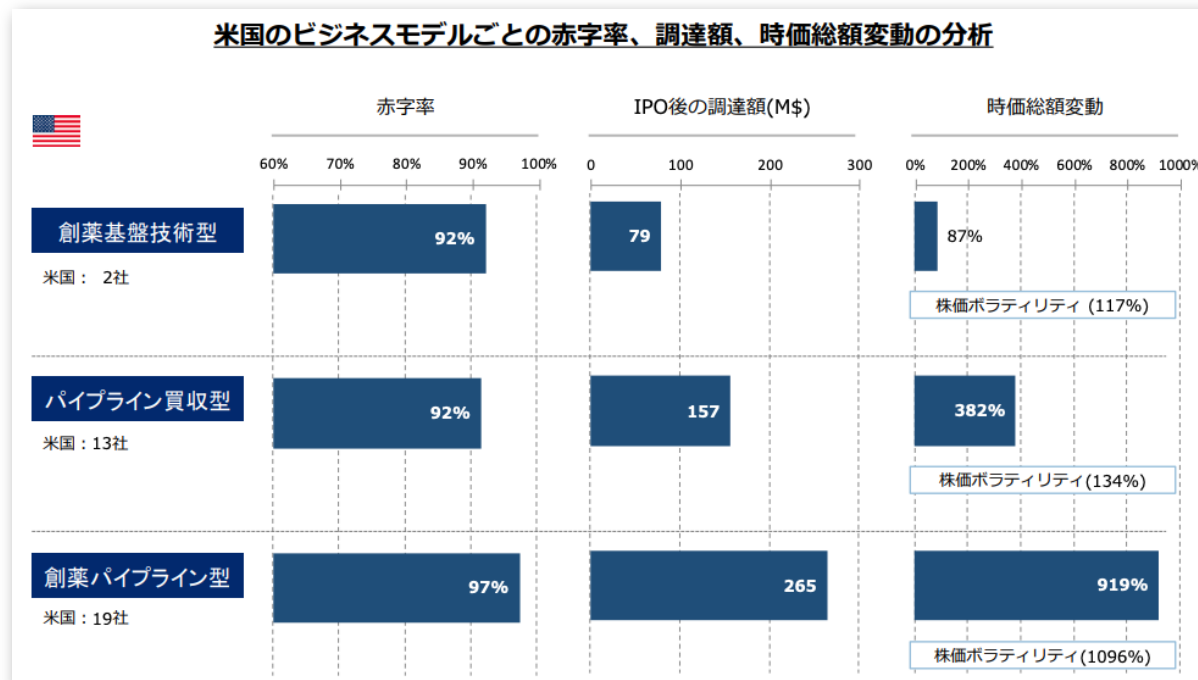


創薬パイプライン型とは(2) 経済産業省『バイオベンチャーのビジネスモデルと資金調達のあり方』

先行する米国は「創薬パイプライン型」が大きく成長

➤ 赤字であっても中長期的な企業価値向上が可能

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



- 基礎研究・創出から後期臨床開発まで自社で進めた実績があります
- これを活かし、各パイプラインの特徴に沿った柔軟な開発方針を想定しています
 - 開発パイプラインごとの開発段階・成功確率・費用見込などに沿って使い分け、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 ≡ 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

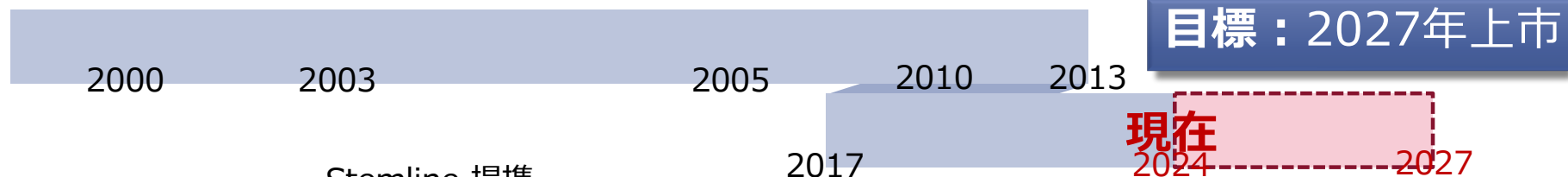
開発パイプラインの状況

各パイプラインの歩み・現状・目標

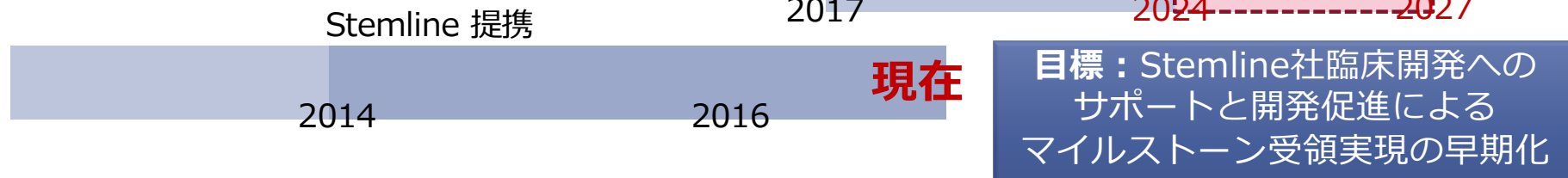
研究 | 開発



CBP501



CBS9106



CBT005



CBP-A08



臨床開発段階にある2つの化合物 この1年の動き

免疫着火剤 CBP501

- 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）
- 米国臨床第2b相試験準備を整えつつ、**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（2024年2月927日公表）
- EMAからオーファンドラッグ指定を受領（2024年8月23日公表）
- 欧州第3相試験成功時にはその結果をもとに**米国でも追加試験なく新薬承認申請を目指す**

可逆的XPO1阻害剤 CBS9106 (Felezonexor)

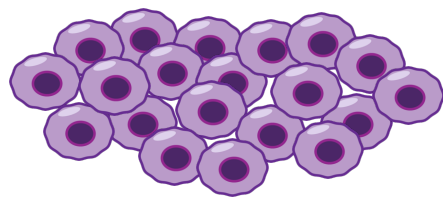
- 提携先Stemline社による米国臨床第1相試験完了（2022年2月14日公表）

現在最も先行し注力しているパイプライン
免疫着火剤 CBP501

免疫系抗がん剤の効きにくい「免疫コールド」ながん

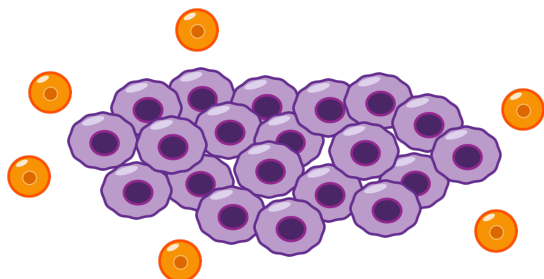
攻撃するための
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に
入り込めていない

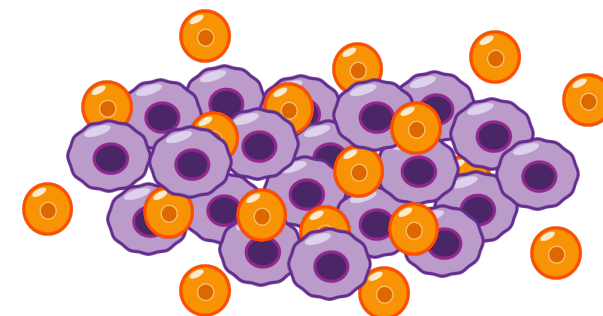
免疫排除



免疫コールドながんを
免疫ホットながんに
変えることが必要

T細胞が十分に
がんを攻撃できる

免疫ホット

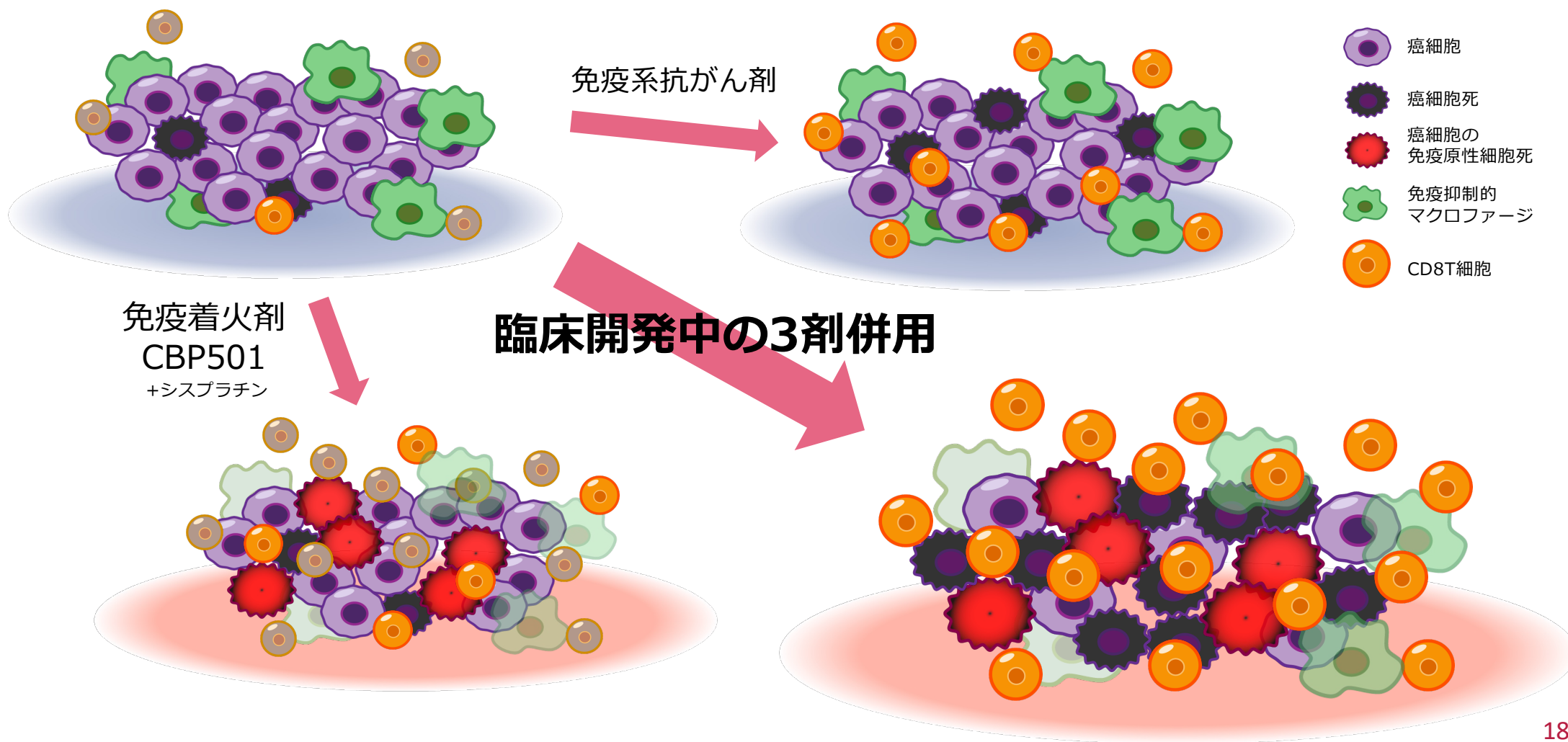


癌細胞



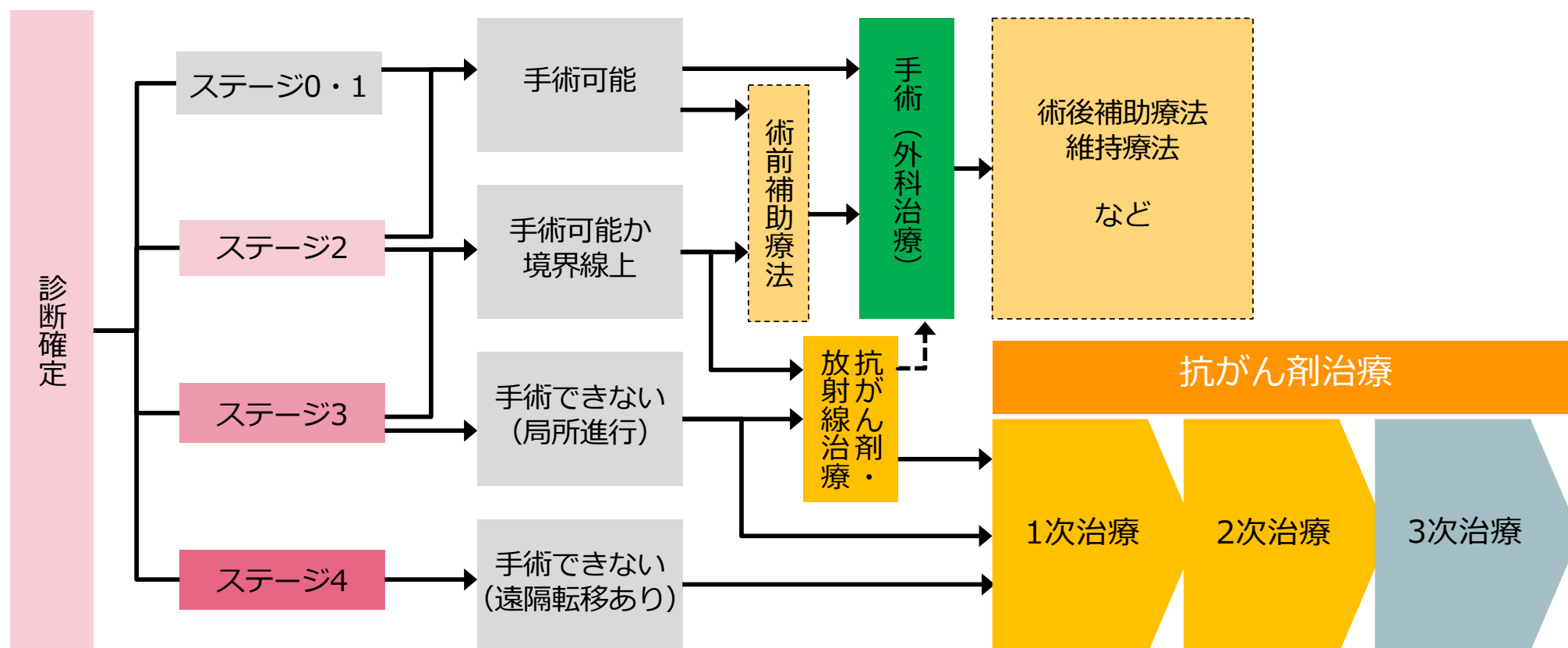
CD8T細胞

CBP501の3剤併用で免疫系抗がん剤を効きやすくする



膵臓がん治療の現状 (1)

診断ステージと治療の選択フロー（概略図*）



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

膵臓がん治療の現状 (2)

2次治療を終えた以降に有効な薬剤がなく、新薬の登場が切望されている



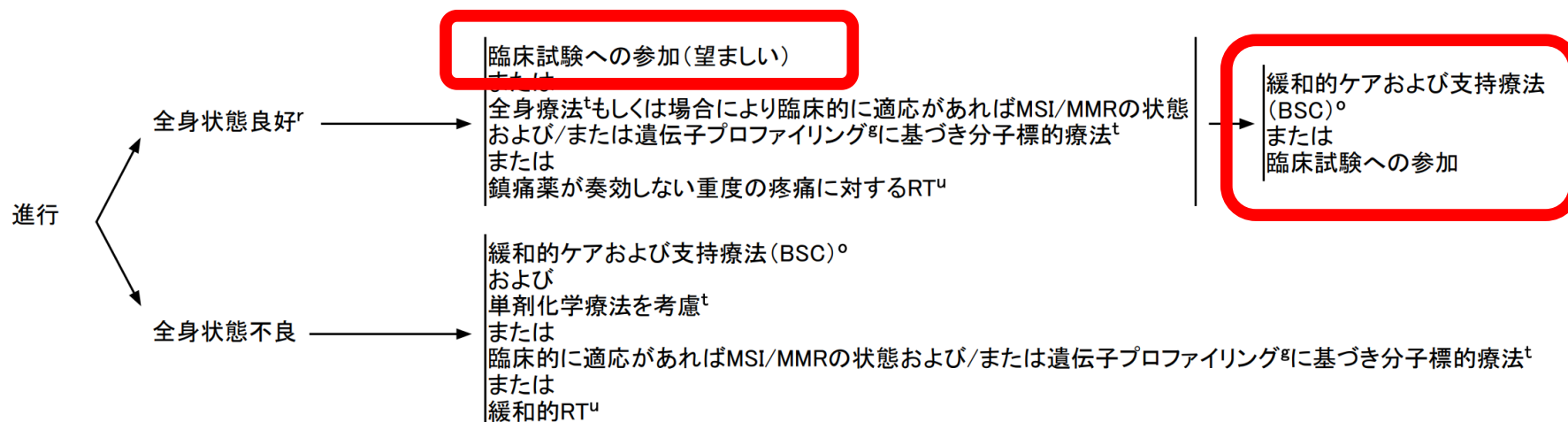
NCCN Guidelines Version 2.2021

膵癌（腺癌）

ガイドライン索引
目次
考察

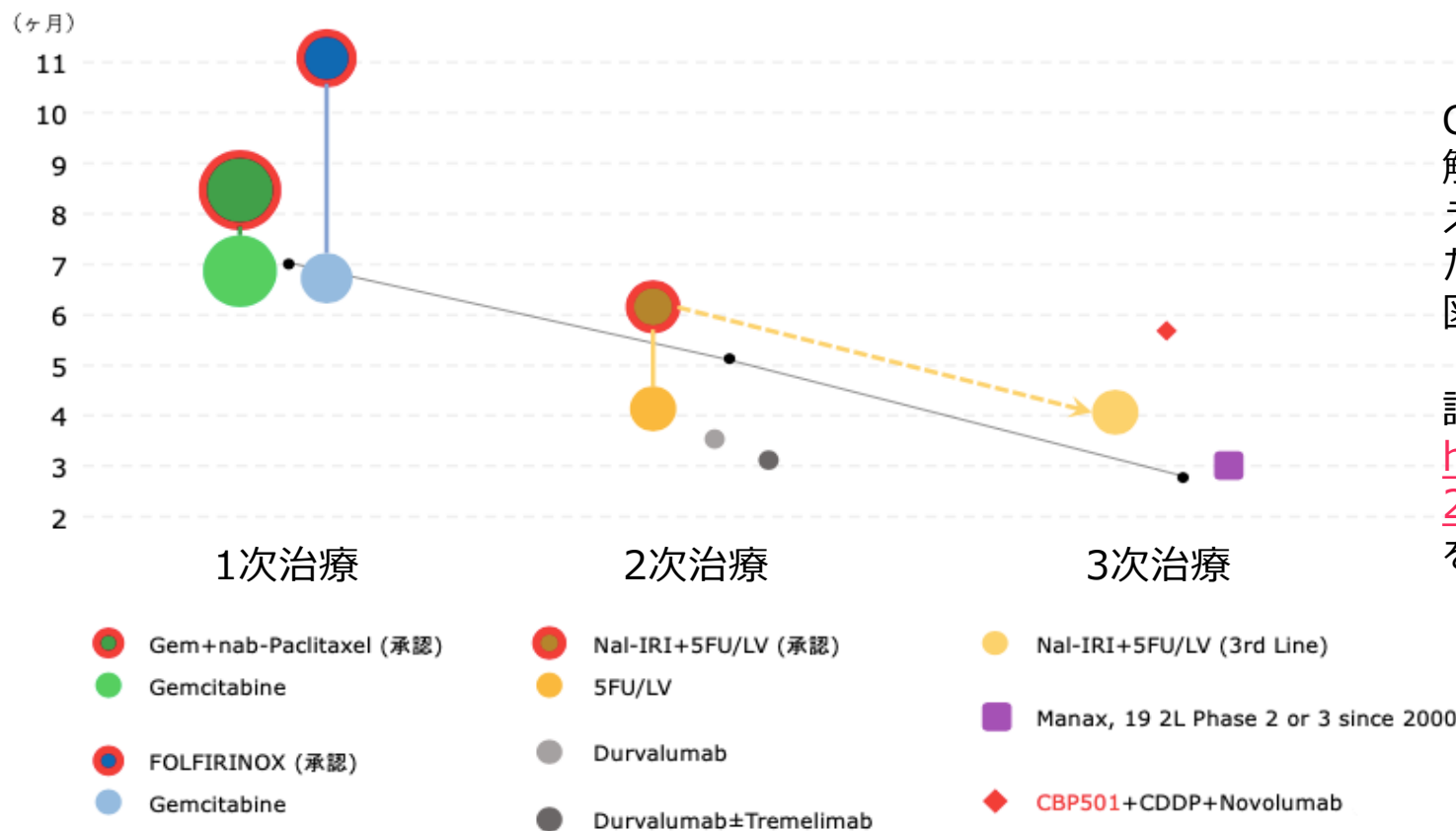
進行

二次以降の治療^s



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、比較に適する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。

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)

CanBas
Cancer therapy by Basic research

 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. MISELH³, 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 Specialists, 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 docetaxepoxide (12-amino acid) G2 checkpoint inhibitor 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:04953862).

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 to one of the following 4 arms:

- 1- CBP501 25 mg/m² + cisplatin 80 mg/m² + nivolumab 240 mg
- 2- CBP501 16 mg/m² + cisplatin 80 mg/m² + nivolumab 240 mg
- 3- CBP501 25 mg/m² + cisplatin 60 mg/m²
- 4- cisplatin 80 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 51 patient was progression-free at 3 months, the treatment group was stopped for futility. If 24 patients were progression-free at 3 months, the treatment group was stopped, and the null hypothesis rejected. Otherwise, 14 additional patients were to be accrued to the study arm in the second stage.

RESULTS- PATIENT CHARACTERISTICS

Between 09 December 2021 and 03 August 2022, a total of 36 patients enrolled at 14 sites in the US; nine patients were randomized to each of the 4 treatment arms. Overall, the median age was 69.0 years (range 41-81 years); the majority were male (19 patients, 52.8%, while 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.

	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
Parameter					
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 censored tumor assessment schedule and visit without adverse. 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 (1.48-2.80)
6-Month PFS, % (95% CI)	15.6 (0.79-49.09)	11.1 (0.61-38.77)	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 (%)					
n	9	9	9	9	36
Complete Response (CR)	0	0	0	0	0
Partial Response (PR)	2 (22.2)	0	0	2 (22.2)	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) (0.00-60.01)	0 (0.00-33.63)	0 (0.00-33.63)	0 (0.00-33.63)	2 (5.6) (18.86-18.86)

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)
-----------	----------------	----------------	----------------	----------------	-------------------

CBP501臨床第2相試験データ学会発表

ポスター発表されたCBP501臨床第2相試験結果

➤ 主要評価項目 3ヶ月無増悪生存率

- ✓ 第1群（3剤併用・CBP501 25mg）第2群（3剤併用・CBP501 16mg）で達成
- ✓ 良好な結果を受け、安全性モニタリング委員会はステージ2に進まないことを推奨

➤ 副次的評価項目（無増悪生存・客観的奏効率・病勢コントロール率・奏効期間・全生存・安全性）

- ✓ これらに関する解説は[当社ブログ記事](#)（2023年10月24日）をご参照ください

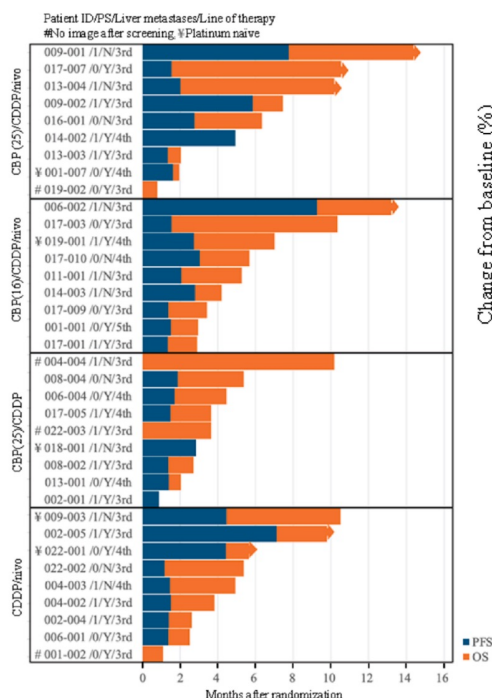
➤ 結論

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

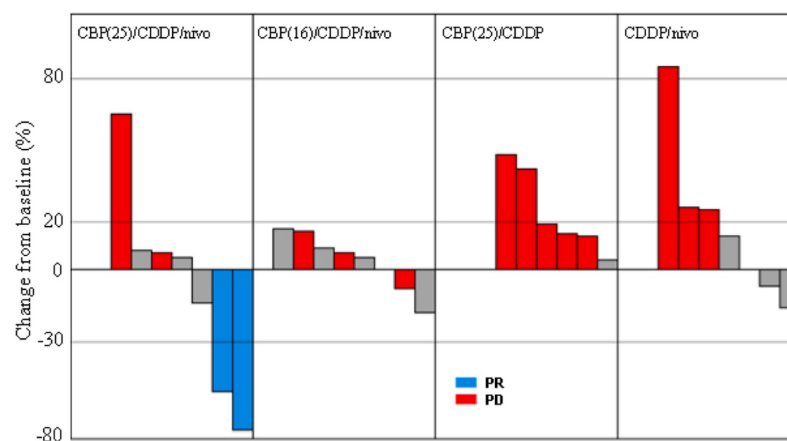
CBP501臨床第2相試験データ論文発表

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

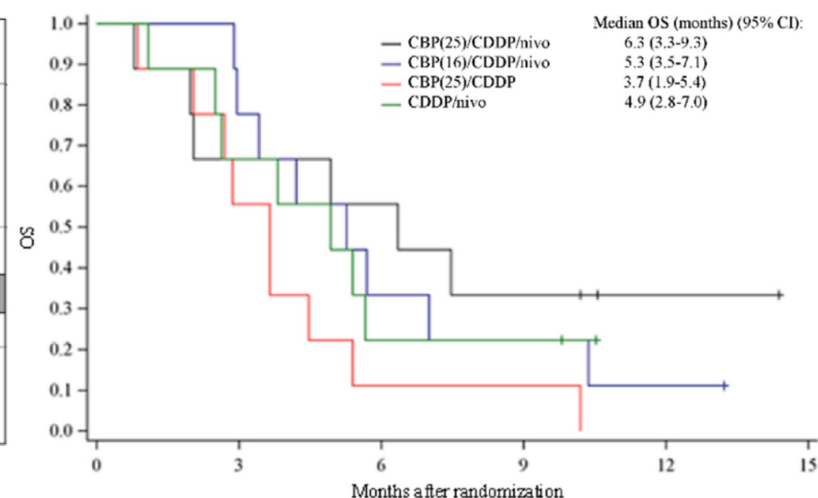
■ 個別症例のPFSとOSを示す スマイズプロット図



■ 腫瘍の増大/縮小を示すウォーターフォール図



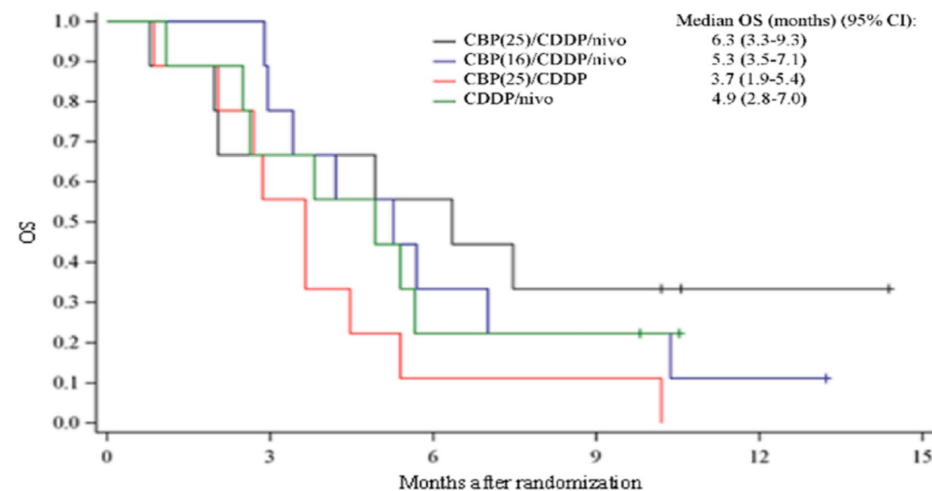
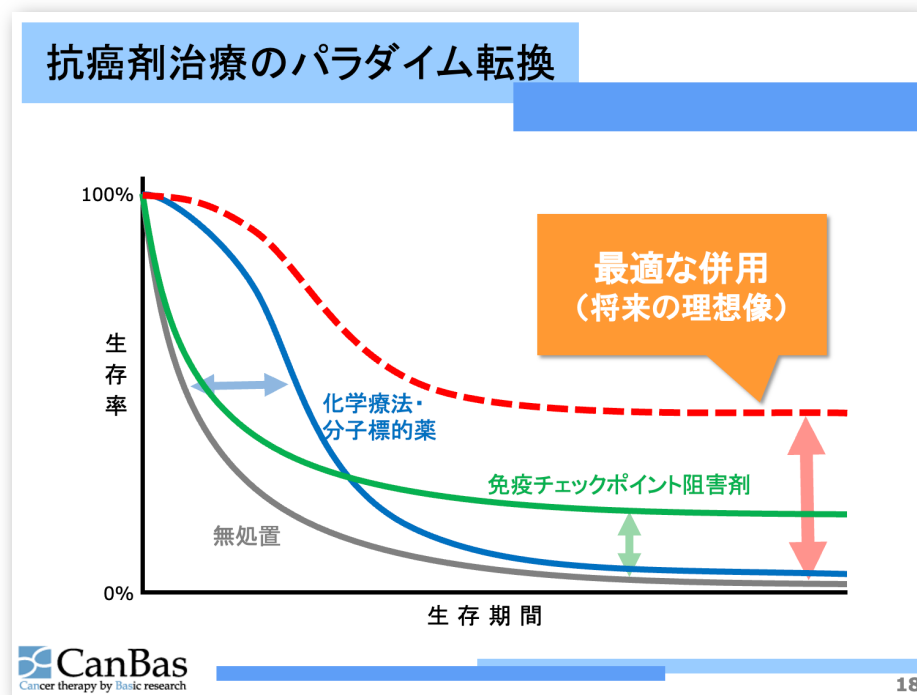
■ 各群のOSの状況を示す生存曲線



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

目指してきた「最適な併用」への前進

過去の当社プレゼンテーション資料で目指したデータに近づいています



2015年8月 「株式会社キャンバス2015年6月期決算説明会資料」

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

米国規制当局との協議を踏まえた経営判断

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と進捗）

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

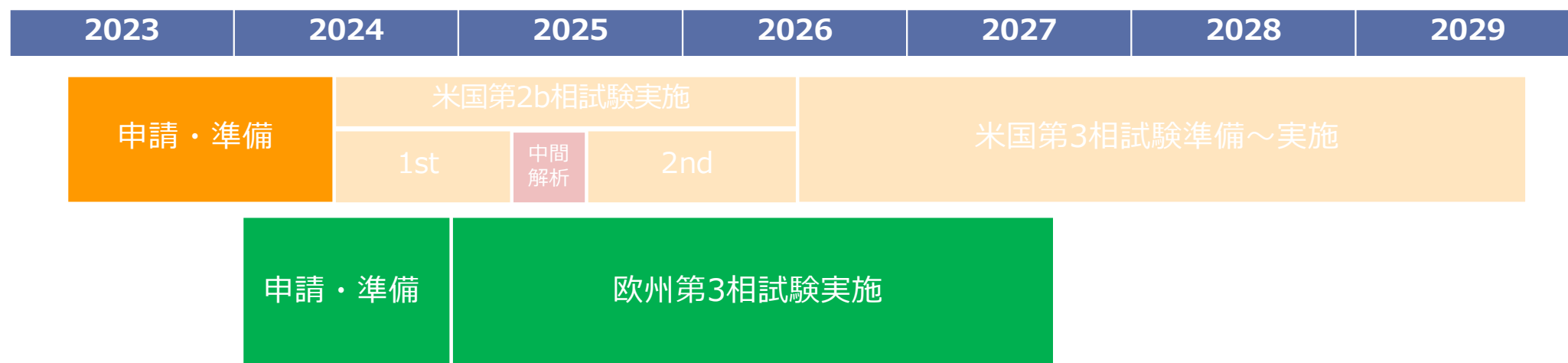
維持
2024年8月時点

*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
- ベストケースとして初期の目標（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



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



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

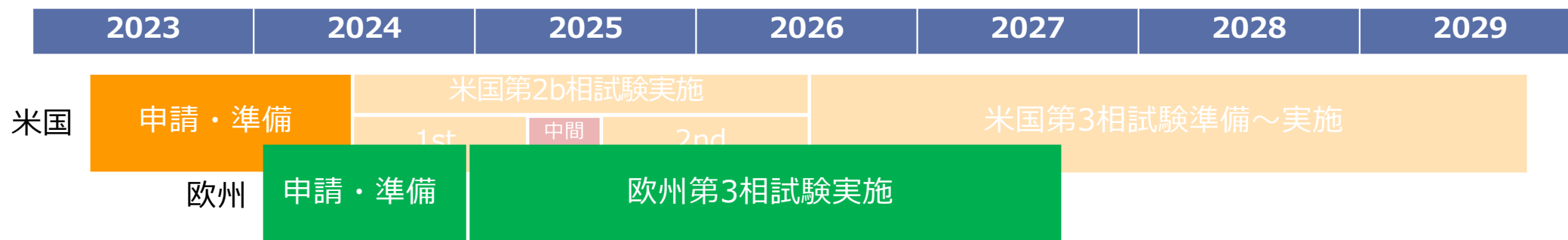
現状：「場合分け1」を想定して進行

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**が存在するが、申請手続き自体の状況には問題なく、現時点では場合分け2や3への変更検討は不要な状況と認識

✓ 時期以外でも状況が大きく悪化したときは、場合分け2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)

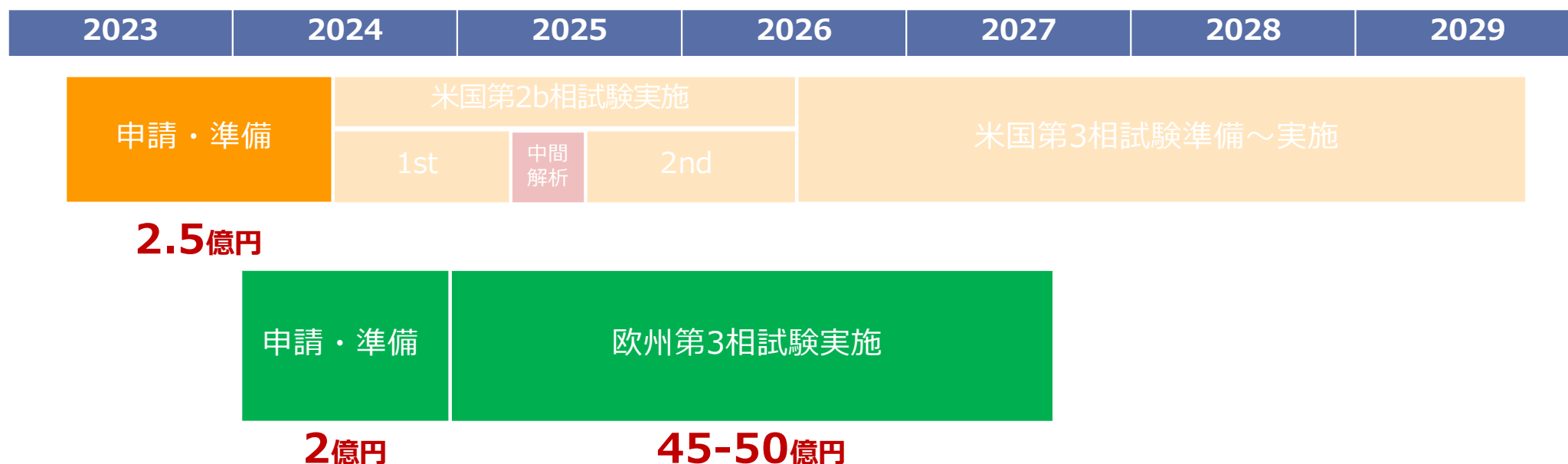


➤ 米国での準備（欧州臨床試験開始の不確実性に備えた“保険”）に区切り

- ✓ 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 *欧州臨床試験の内容は未確定であり、費用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

CBP501

パイプライン価値試算のめやす

一般的なパイプライン価値試算の考え方

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

CBP501の想定市場

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

CBP501のパイプライン価値 (1)

CBP501の初期適応（膵臓がん3次治療）領域での位置

- 既存先行品は市場に存在しない = **市場がまだない**
- 開発競争において開発中止が続く（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	Halozyne	PEGPH20	ヒアルロン酸分解	FOLFIRINOX	1次	492	3	失敗 (2019年11月)
NCT02923921	Eli Lilly	AM0010	PEG-IL10	FOLFOX	2次	566	3	失敗 (2019年10月)
NCT01373164	Eli Lilly	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					

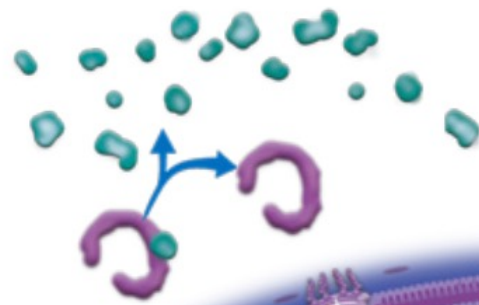
↓
適
応
拡
大

※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
(出入り口)

XPO1 (exportin 1)

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

Felezonexor (CBS9106) によるXPO1阻害

Felezonexorは、がん細胞の細胞周期停止とアポトーシスを誘導することが示されており、固形がんおよび血液がんに対する傷害性を有します

Felezonexor

核内の
蛋白質と
XPO1の
結合を
ブロック

Felezonexorは、XPO1による核外排出を可逆的に阻害する低分子化合物です

 臨床第1相試験を有望なデータとともに終了

 「安全性」「有効性」「使いやすさ」でXPO1阻害剤の**ベスト・イン・クラス**へ

➤ 上市済みのXPO1阻害剤：XPOVIO(Selinexor) 米国Karyopharm社
適応：びまん性大細胞B細胞性リンパ腫・多発性骨髄腫

- ✓ XPOVIOは副作用が多く、適応も血液癌の一部に限られている
直近の臨床試験（STORM study、多発性骨髄腫対象）
・・・89%の患者でグレード3以上の重篤な副作用報告、少なくとも2例の死亡報告

➤ CBS9106の優位性

- ✓ 安全性：最大耐用量の高さ（Stemline社による臨床第1相試験、ESMO2020報告）
・・・背景には、CBS9106のXPO1分解作用* による副作用の小ささ
- ✓ 有効性：複数の固形がんで薬効の兆候（Stemline社による臨床第1相試験、ESMO2020報告）
- ✓ 使いやすさ：臨床現場で使いやすい経口剤

* CBS9106は、XPO1による基質輸送を阻害したあと、XPO1を分解することがわかっており、細胞は新たなXPO1を産生して正常な機能を保とうとするため、副作用の小ささが期待できる。

CBP501同様に地域の拡大と適応拡大の可能性を追求

➤ 地域の拡がり

- ✓ 提携先Stemline社がMenarini社（イタリア）に買収されたことで特に欧州への拡がりに期待

➤ 適応拡大

- ✓ 臨床第1相試験（固形がん全般を対象とする探索試験）で複数の癌種への有効性と高い安全性が示唆された
 - 大腸がん
 - KRAS変異がん
 - 腎臓がん

CBS9106のライセンス内容

Stemline社とのライセンス契約経過

- 2014年12月 日中台韓を除く全世界を対象にライセンス導出
- 2018年8月 ライセンス対象地域を上記地域を含む全世界へ拡大

ライセンス契約に基づく収益

- 契約一時金・・・2014年12月 10百万円、2018年8月 5百万円 それぞれ受領済
- 技術アドバイザリーフィー・・・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 前臨床試験までの段階のプロジェクト

基礎研究～非臨床試験段階のプロジェクトの状況

基礎研究～非臨床試験段階のパイプライン (ピックアップ)

➤ **CBT005**

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

➤ **CBP-A08**

- ✓ 最適化を完了し、財務状況等を勘案し前臨床試験開始を模索

➤ **IDO/TDO二重阻害剤**

- ✓ 静岡県立大学と共同研究で最適化を進行中。日本で特許査定受領 (2023年6月6日公表)

➤ **NEXTプロジェクト**

- ✓ 新たなコンセプトの免疫系抗がん剤候補化合物の探索創出

➤ **抗がん剤感受性予測システム**

- ✓ 患者様個々の体細胞変異情報から抗がん剤治療の結果を予測

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）

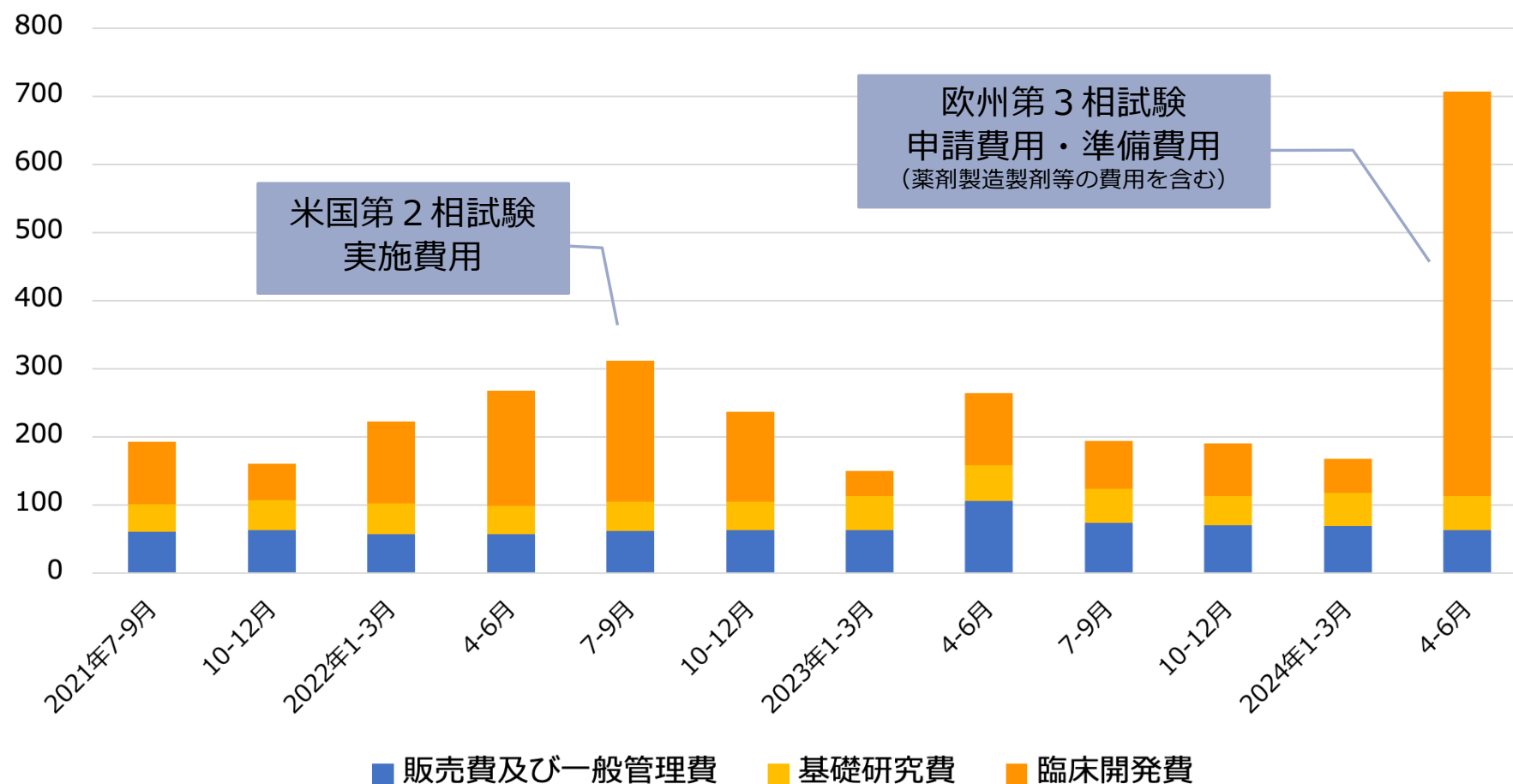
	2024年6月期	前期比	注
事業収益（売上高）	— 百万円		
営業利益	△1,262 百万円	損失増加 297 百万円	
経常利益	△1,208 百万円	損失減少 75 百万円	
当期純利益	△1,209 百万円	損失減少 35 百万円	

*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。

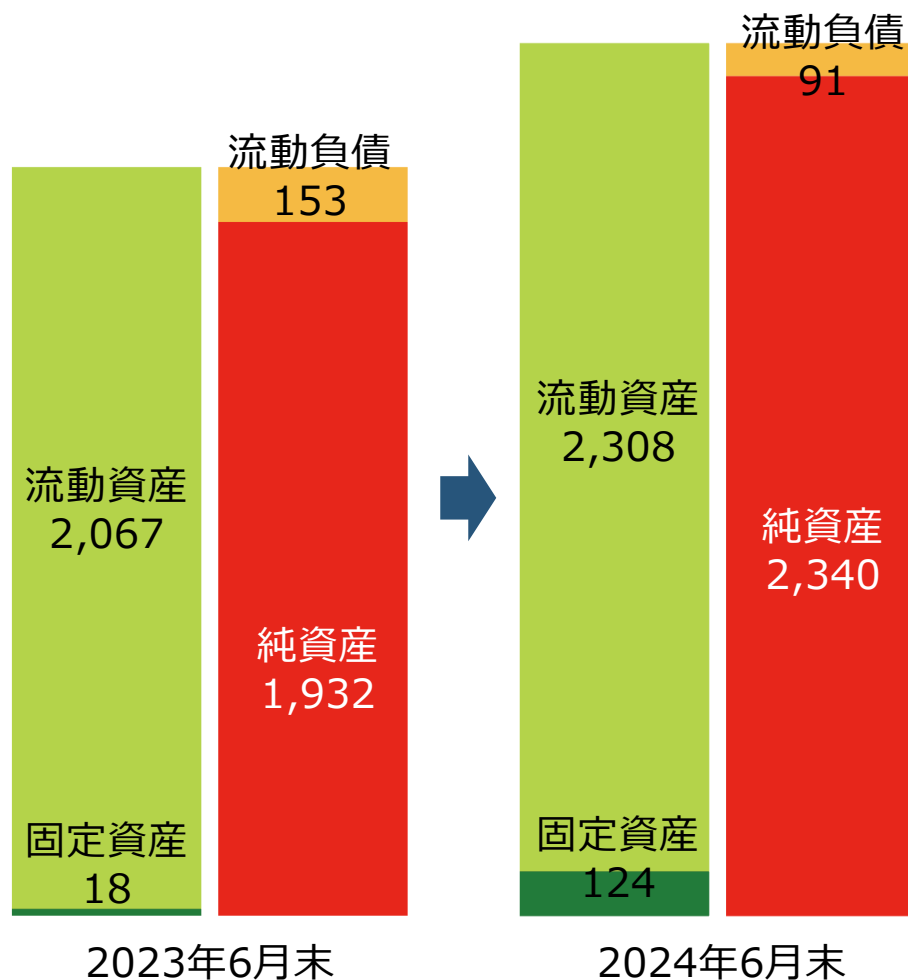
*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106・CBT005に関する費用はありません。

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進捗

*百万円未満切り捨て表示のため合計などが一部一致しません。

企業価値評価向上への施策

企業価値
||
成功時の
パイプライン
価値の
総和

×

ディスカウント

=

足元の市場評価

 一般的ディスカウント要因

- 成功確率
- 時間価値

 当社/創薬に特有の要因

- 開発継続資金の懸念
- 評価の困難性
 - ✓ 一般に代替的評価方法とされてきた製薬企業提携の有無や内容が使えない
- 情報開示の制約
 - ✓ 臨床試験情報
 - ✓ 規制当局との協議内容

 足元の市場評価が変化した要因

- パイプライン価値の周知
- 開発継続懸念などディスカウント要因が薄れた
- 開発進捗の内容が見え、その価値評価が企業価値評価に反映され始めた

 市場評価のさらなる向上に向けて

- **開発のさらなる進捗と成果の公表**
- **丁寧な投資家リレーション**
- **開発資金と継続性を維持する資金や体制の確保**

☒ 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	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） *詳細内容は今後変更の可能性あります。 2024年6月期充当状況 ➤ 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
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	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 ➤ 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
合計金額	5,846		

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

新株発行、第19回・20回新株予約権発行の概要

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

新株式の発行

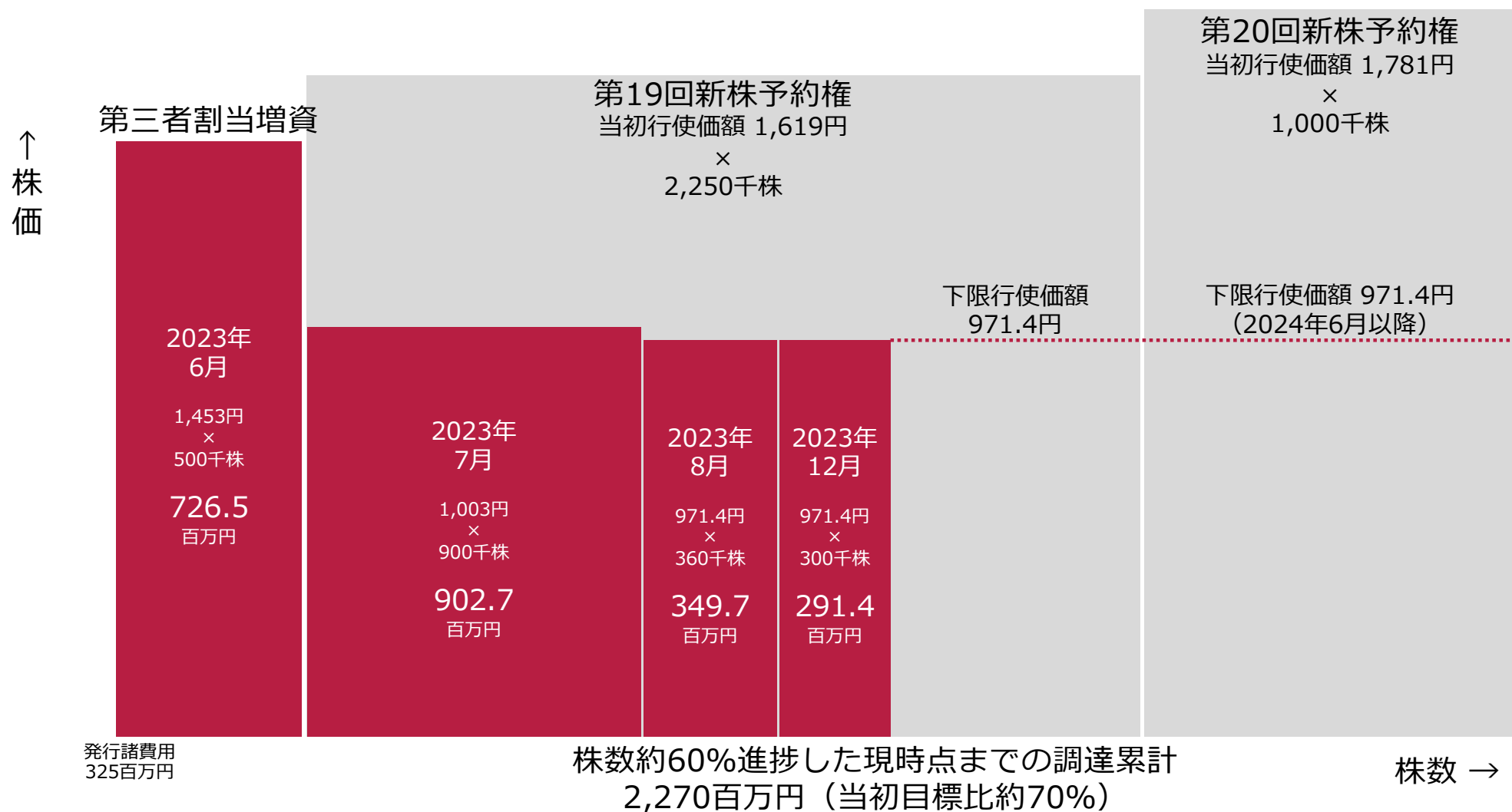
- 発行価額 1株あたり1,458円
- 普通株式 500,000株 (729百万円相当)
- 払込期日 2023年6月2日

手法・諸条件

第19回・20回新株予約権の発行

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

2023年ファイナンス 現在までの調達と今後



キャンバスを知る情報源

キャンバスを知る情報源

- ウェブサイト <https://www.canbas.co.jp>
 - マネジメントブログ <https://www.canbas.co.jp/blog/>（不定期更新）
- X（旧Twitter）公式アカウント <https://twitter.com/canbas4575>
 - フォロワー6,000人超。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）



■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