



2024年6月期第2四半期 決算説明会

2024年2月15日

株式会社キャンバス
(東証グロース 4575)

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
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				
NEXTプロジェクト がんの「治癒」を目指す 免疫系抗がん剤	CBT005				日本大学
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）

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**
- 米国FDAから膵臓がん対象のオーファンドラッグ指定受領（2023年1月27日公表）
- 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EMAへ臨床第3相試験開始申請（2024年2月予定）
- 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

2024年2月9日公表

CBP501臨床開発計画 適時開示

協議長期化の最大要因：多剤併用試験における各薬剤の寄与

- 多剤併用における各薬剤の寄与を証明する基準は、FDAの中でも確立されていない
 - ✓ 承認済みの2剤+別の適応で承認されている1剤を加えた3剤併用が追加1剤の寄与を統計的に証明せず承認されたケースも存在
 - ✓ 必ずしも2剤併用と3剤併用の比較試験が常に求められるわけではない
 - CBP501の3剤併用の場合、各薬剤の寄与を証明するのは困難
 1. CBP501+シスプラチン・・・第2相試験で無効による早期中止。判断済み
 2. CBP501+ニボルマブ・・・過去の臨床試験データなどから不要と判断済み
 3. シスプラチン+ニボルマブ
 - ・・・第2相試験で主要評価項目不達成、独立の安全性モニタリング委員会の全会一致で試験終了推奨
 - 当社の主張：3剤併用群と医師最適選択群の比較で統計的有意差を証明
 - これに対し米国規制当局からは明確な反応なし。FDAも手探り状態で、協議が長期化
 - 「シスプラチン+ニボルマブ2剤併用を含む3群で試験せよ」「3剤の試験を認めない」どちらもなし
- 結果「いちど規模の小さい2群試験を実施せよ」という中間的な承認に

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、迅速に米国試験を再開可能な準備を整え、並行して欧州での第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

🇪🇺 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

➤ 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

承認・上市目標時期 2027年 は変更ありません

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。今回変動したわけではないため、このまとめでは省略しています。

決算と財務の状況

創薬企業の2つの事業モデル

*二者択一ではなく、それぞれに多様なバリエーションがあります。

研究開発投資のキャッシュフロー（模式図）

創薬パイプライン型
(自社で承認近くまで開発)

創薬基盤技術型
(比較的早期に製薬企業等へ導出)

ポジティブ面

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

ネガティブ面

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

ポジティブ面

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

ネガティブ面

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

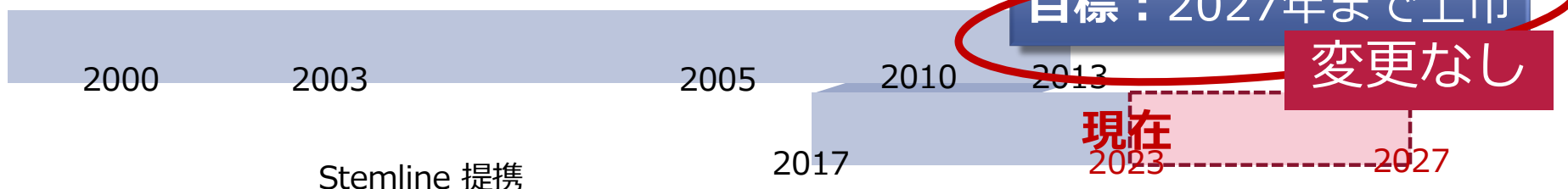
- 基礎研究・創出から後期臨床開発まで自社で進めた実績があります
- これを活かし、パイプラインの特徴に沿った柔軟な開発方針の分岐が可能
 - 開発パイプラインごとの開発段階・成功確率・費用見込などに沿って使い分け、中長期的な企業価値の効果的な最大化を図ることが可能です。
- 各パイプラインの現状の想定と今後
 - **CBP501**：自社で承認まで開発する**創薬パイプライン型開発**を想定
並行して、適応や地域などの部分的導出やアライアンスなども選択肢にできる状況です。
 - **CBS9106**：**創薬基盤技術型開発** 前臨床試験段階で導出、提携先負担で進行
将来のマイルストーン収入とロイヤルティ収入を見込んでいます。
 - 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。

各パイプラインの歩み・現状・目標

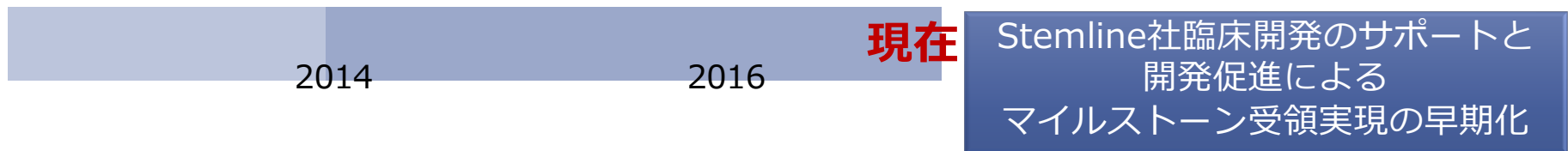
研究 | 開発



CBP501



CBS9106



CBP-A08



CBT005



2024年6月期2Qの業績 (1)損益計算書

2024年6月期第2四半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
 - ✓ 2Q累計事業費用387百万円の内訳：
基礎研究費*1 92百万円（前年2Q 85百万円） 臨床開発費*2 148百万円（同339百万円） 販管費146百万円（同125百万円）
基礎研究費・販管費に大きな変動なし。臨床開発費は第2相費用減少、米国第2b相と欧州第3相の準備費用支出開始
 - ✓ 営業外費用（為替差損・株式交付費）

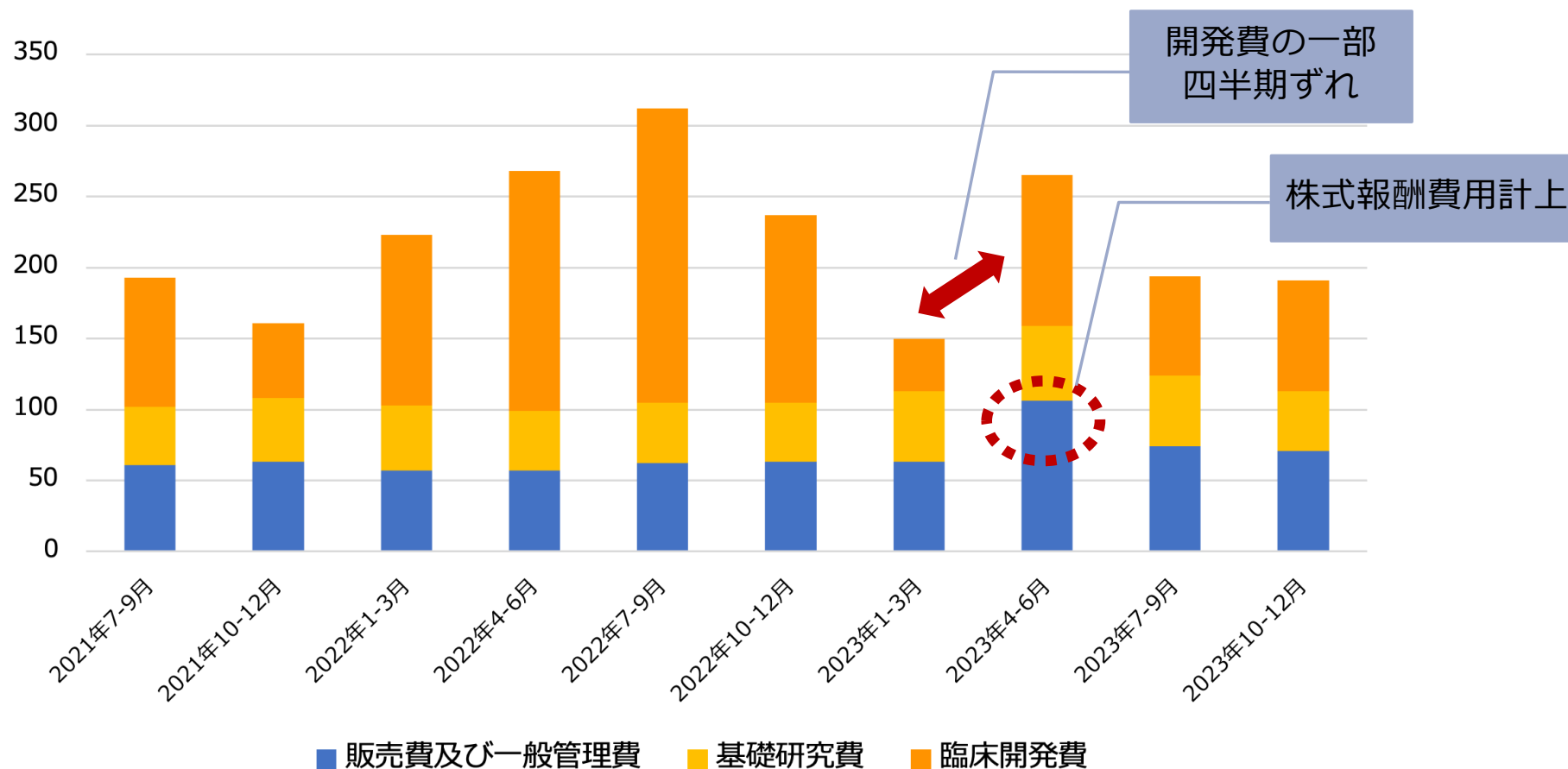
	2024年6月期2Q	前年2Q比	注
事業収益（売上高）	— 百万円		
営業利益	△387 百万円	損失減少 164 百万円	前年は臨床第2相試験支出のピーク
経常利益	△393 百万円	損失減少 169 百万円	
四半期純利益	△393 百万円	損失減少 169 百万円	

*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。

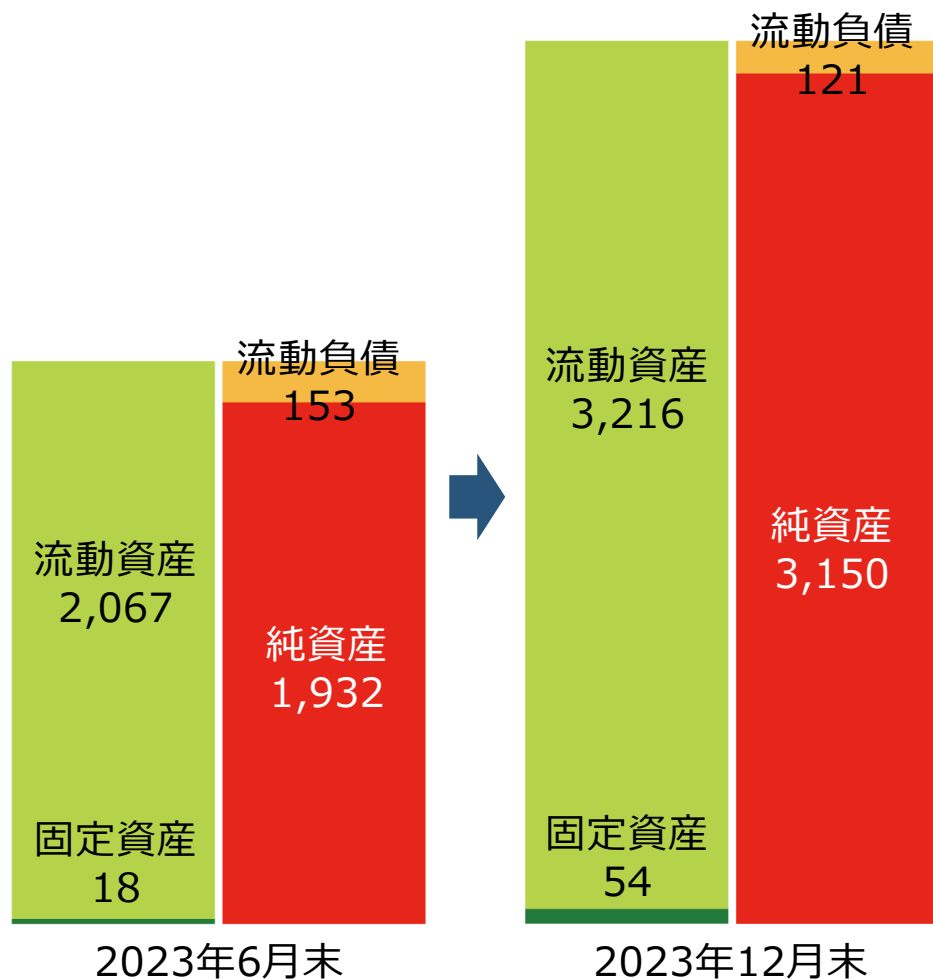
*2 臨床開発費は全額CBP501関連の費用です。CBS9106・CBT005に関する費用はありません。

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2Q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 → 2,780
 - (-) 四半期純損失
 - (+) 新株予約権行使による資金調達

✓ 前渡金 367 → 335

- 米国臨床試験準備の一部

➤ 純資産

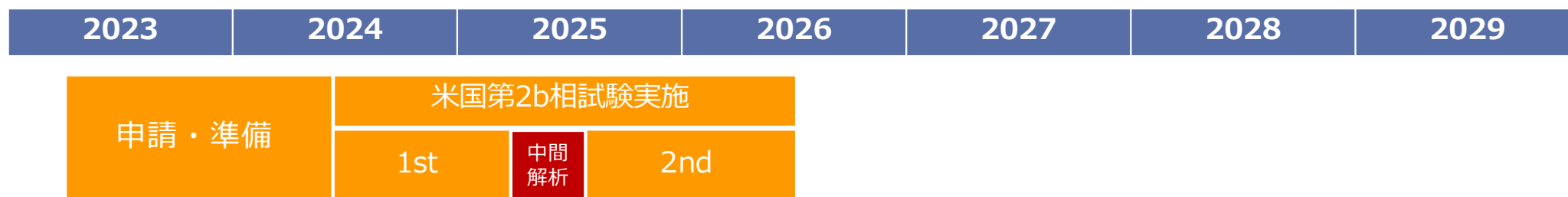
✓ 株主資本合計 1,898 → 3,120

- 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。

臨床開発方針の選択

FDA臨床第2b相試験開始承認取得



- ここまでは進められる
= ベストシナリオからの後退 + **ワーストシナリオの底上げ確保**

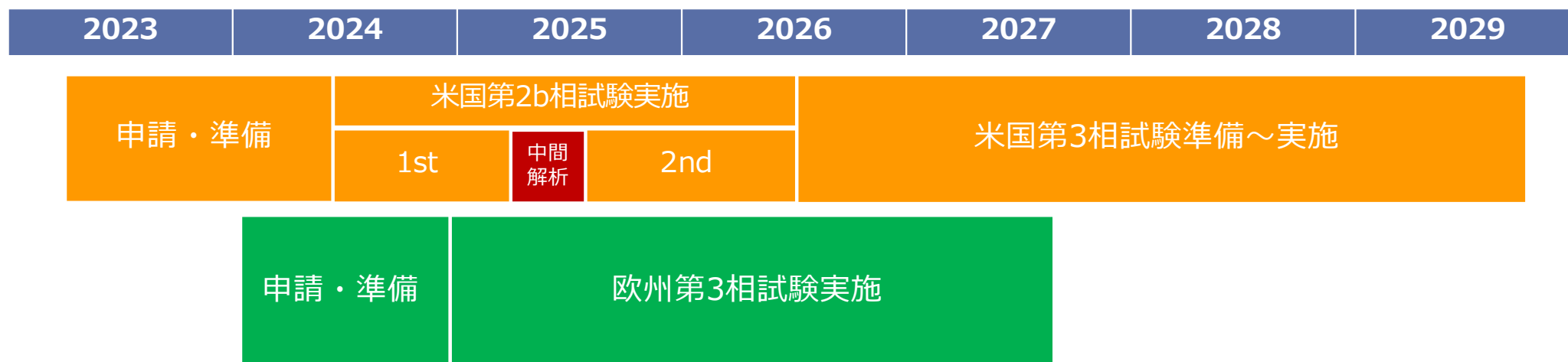
臨床開発方針選択の所与の条件

初期の目標（2027年までに上市）の実現可能性はどうか

2023	2024	2025	2026	2027	2028	2029
申請・準備	米国第2b相試験実施			米国第3相試験準備～実施		
	1st	中間解析	2nd			

- 米国第2b相試験の延長線上のみでは…
 - ✓ 上市目標時期が大きく延期
 - ✓ 必要資金も増大
- 中長期的な企業価値を毀損しないためには

欧州臨床第3相試験実現の可能性 = ベストシナリオの維持



- 欧州臨床試験の実現可能性が上昇した契機
 - ✓ ESMO2023発表への反応
 - ✓ 有力医師/研究者からのサポート申し出

欧州申請の不確実性への対応

欧州の申請が順調に進むと見込まれる場合（場合分け1）

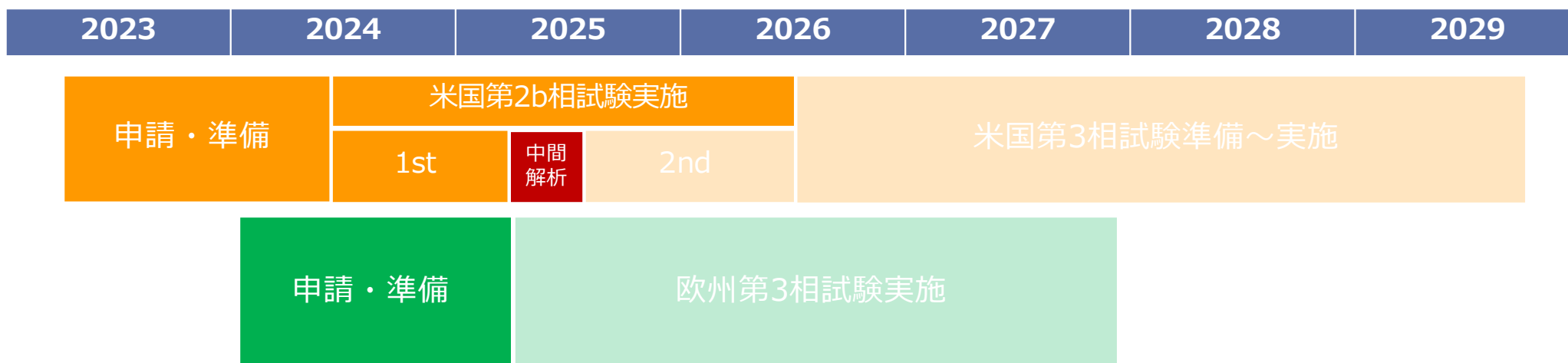


- 米国第2b相を準備終了時点でペンディング。最終的には中断も
- 初期の目標（2027年までに上市）の実現可能性を維持

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

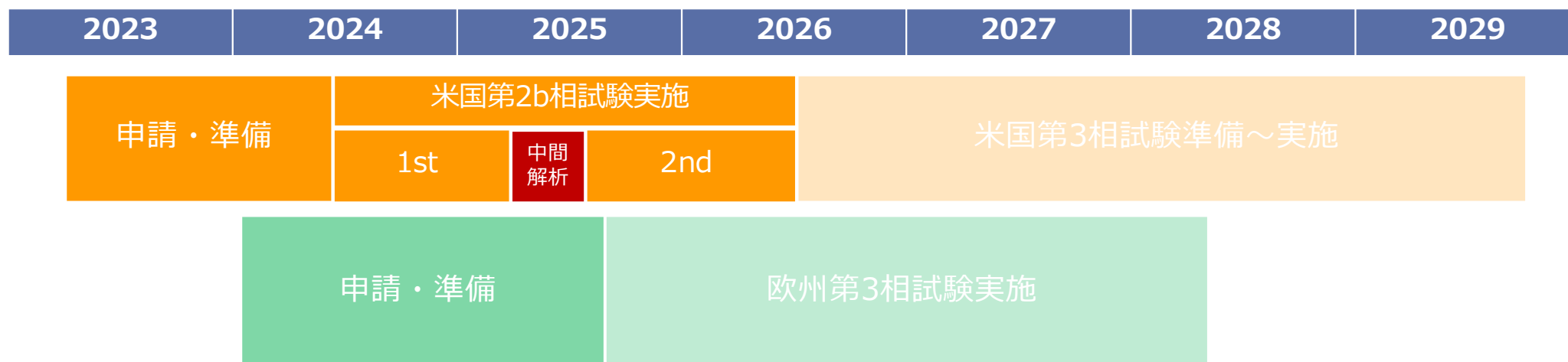
欧州申請・準備がやや長期化すると見込まれる場合（場合分け2）



- 米国第2b相試験を1stステージ（中間解析）まで進める
 - ✓ その間も欧州申請・準備の推移を見て機動的な選択

欧州申請の不確実性への対応

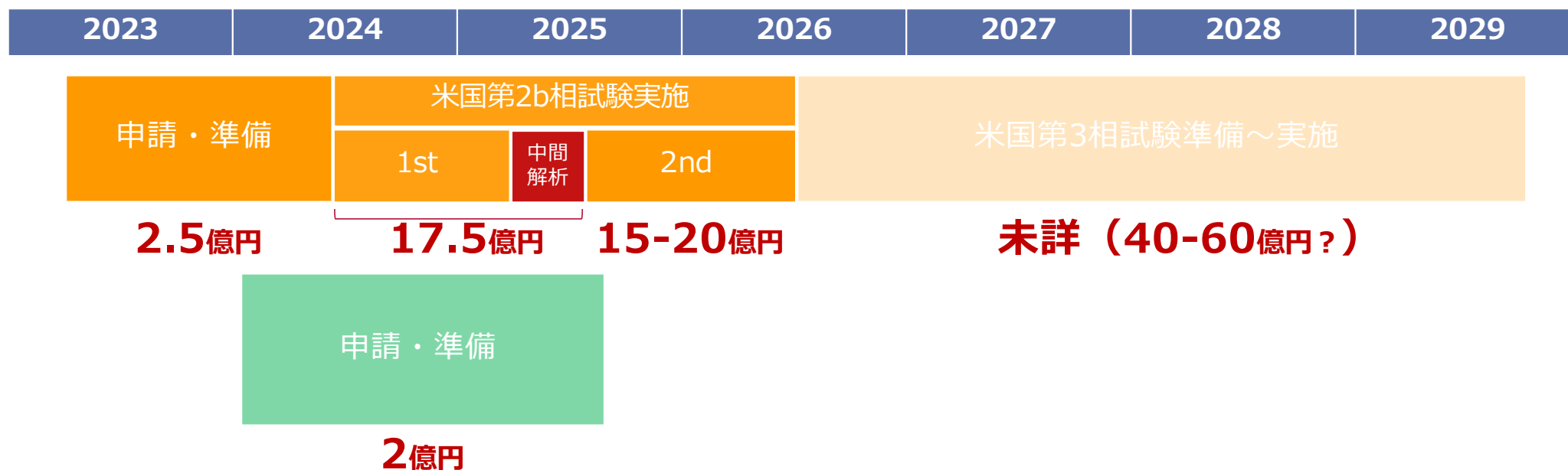
欧州申請・準備が順調に進まず長期化が見込まれる場合 (場合分け3)



- 欧州当局との協議は継続しつつ、米国第2b相試験を続行
 - ✓ 将来、米国第3相試験と欧州第3相試験の選択になる可能性も

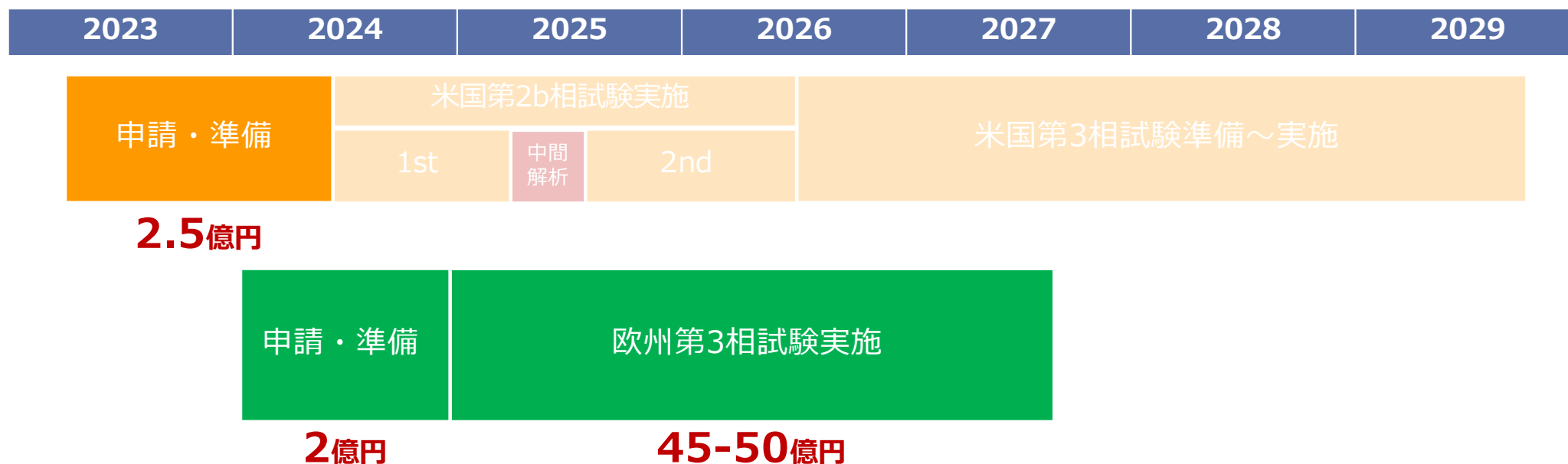
今後発生する費用の見通し

米国で臨床試験を続行する場合



今後発生する費用の見通し

ベストシナリオの場合 *欧州臨床試験費用については今後変動の可能性があります



これまでの開発費用見通しから大きな変動はありません

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。今回変動したわけではないため、このまとめでは省略しています。

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

地域を移して
ベストシナリオ維持

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

ワーストシナリオの底上げ

*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。今回変動したわけではないため、このまとめでは省略しています。 25

ファイナンスの状況

☒ 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わります
- ✓ 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

資金使途及び支出予定時期 * 2023年5月資料をそのまま再掲

CBP501臨床第3相試験完遂までの費用と運営資金に充当

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あります。</p> <p>➤ 上記内容を想定した第3相試験費用見通し 55~65億円 （そのうち約10億円は前回ファイナンスで調達済み） ➤ 差額約55億円を今回のファイナンスで調達する計画</p>
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> <p>➤ 2024年5月以降の運営資金は既存の現預金を充当</p>
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

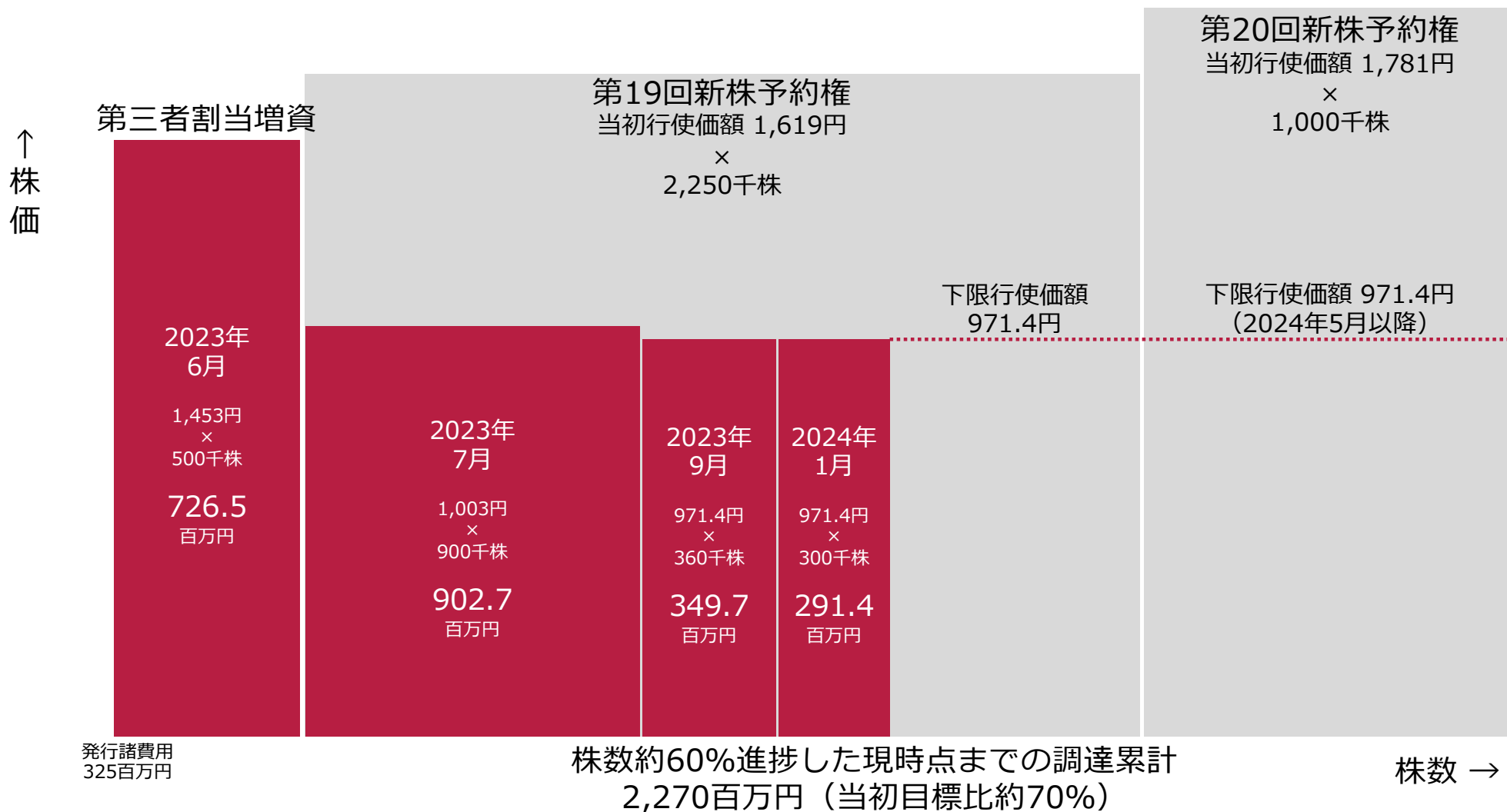
- 発行価額 1株あたり1,458円
- 普通株式 500,000株 (729百万円相当)
- 払込期日 2023年6月2日

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

現在までの調達と今後



キャンバスを知る情報源

- ウェブサイト <https://www.canbas.co.jp>
 - ▶ マネジメントブログ <https://www.canbas.co.jp/blog/>（不定期更新）
- X（旧Twitter）公式アカウント <https://twitter.com/canbas4575>
 - ▶ フォロワー6,000人突破。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 2023年10月25日最新版
『[ESMOでの発表：新たな地平を開く可能性](#)』
 - ▶ シェアードリサーチ（随時更新）
<https://sharedresearch.jp/ja/4575>
- TV・インターネット番組等出演
 - ▶ アイロゴス主催 櫻井英明WEB株式講演会&企業IRセミナー
2024年2月17日配信予定（河邊・加登住出演）

APPENDIX

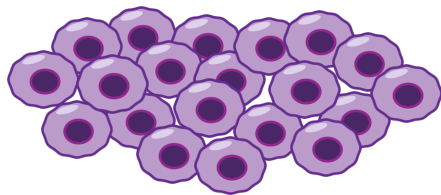
研究開発の状況

(1) 臨床開発段階のパイプライン

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

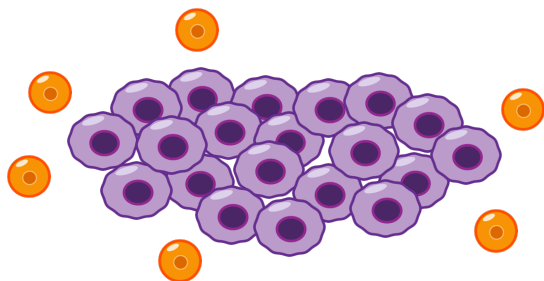
攻撃するための
T細胞がない

免疫砂漠



T細胞ががん組織に
入り込めていない

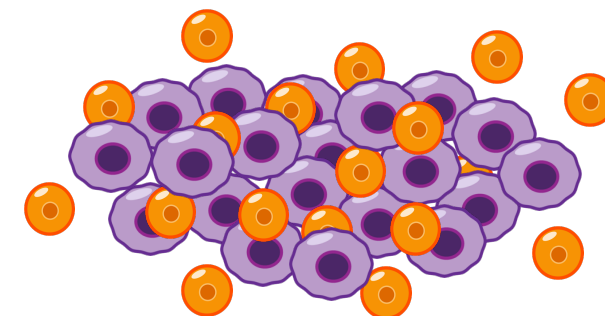
免疫排除



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

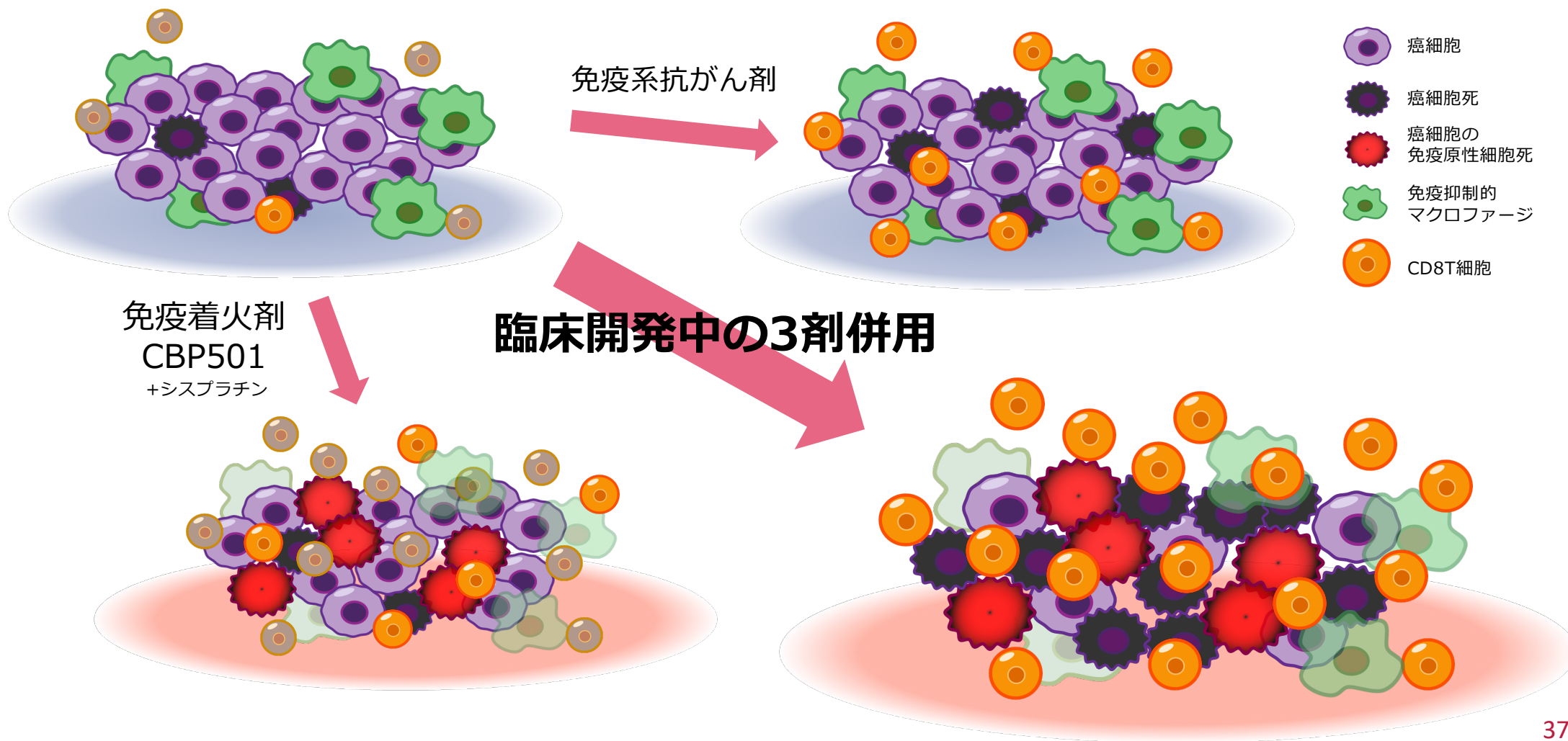


癌細胞



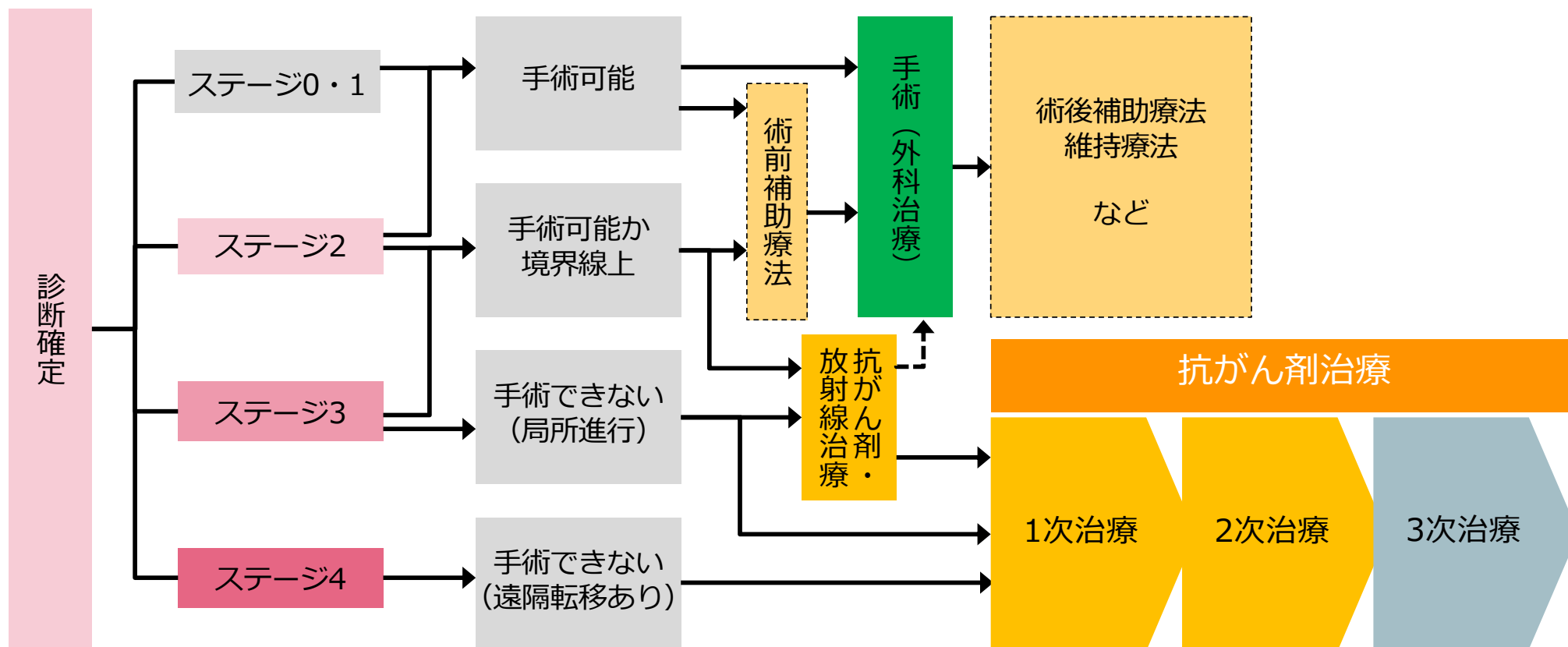
CD8T細胞

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)

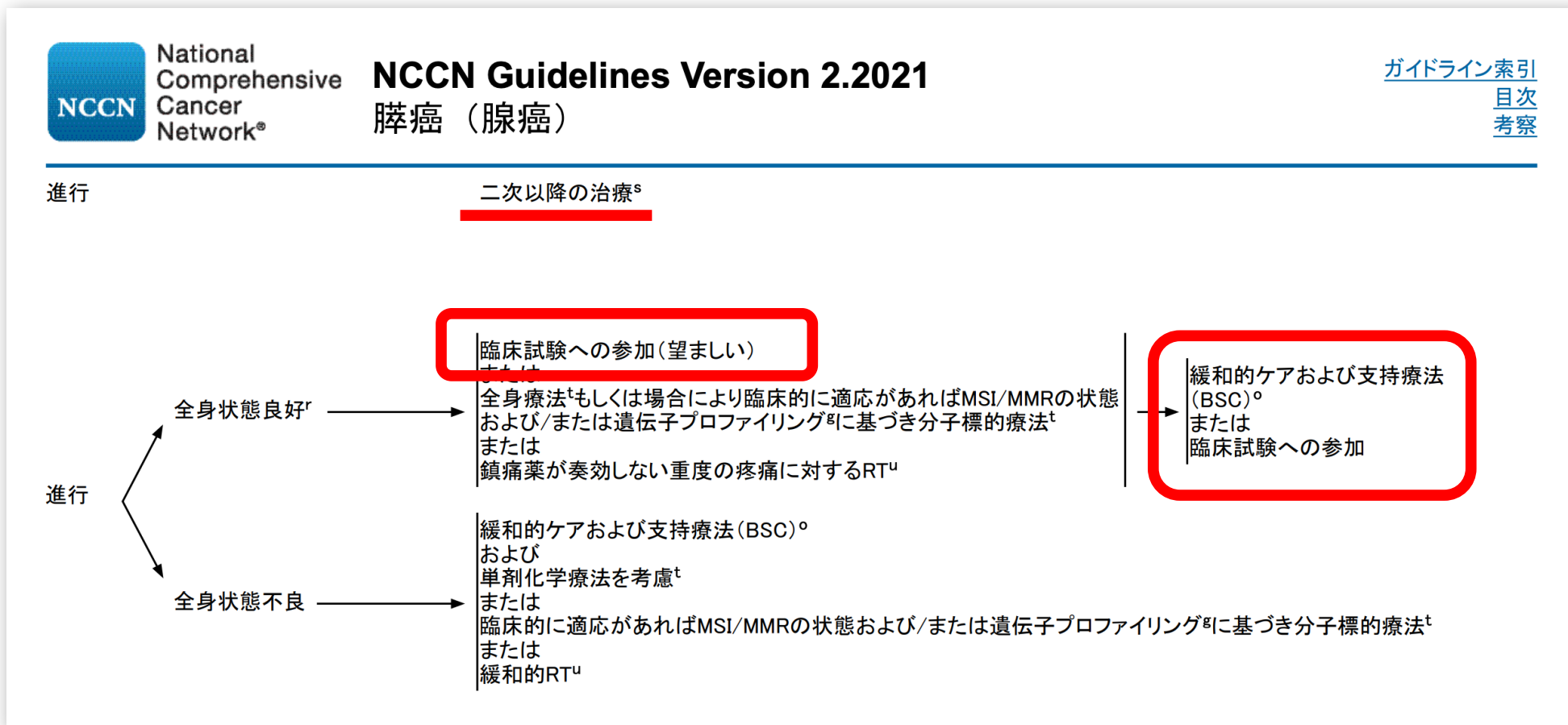
診断ステージと治療の選択フロー (概略図*)



* 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>

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き（前頁参照）、CBP501はトップランナーの位置にいる
 - ✓ 2022年1月 Tyme Technologies（2022年9月 Syros Pharmaceuticalsと合併）
「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	探索的試験
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	Halozyyme	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	膀胱がん承認されず (2023年5月)

CBP501は膵臓がん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年間で想定したものです。

➤ 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。

➤ パイプライン価値試算の考え方（ご留意事項）

- ✓ 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現在に割り戻して算出します。
上記の末端販売高・ロイヤルティの想定は、試算のめやすとしてお示ししています
- ✓ 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）にご留意いただく必要があります

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

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 23rd line treatment of patients with exocrine pancreatic cancer and WBC <10,000/mm³

T. Enzler¹, A. Nguyen², J. Misleh³, 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, Ann Arbor, MI, USA; ¹⁵Oncology, Mary Crowley Cancer Research Center, Dallas, TX, USA; ¹⁶Oncology, CanBas Co., Ltd., Numazu City, Shizuoka Pref., Japan; ¹⁷Medical Affairs, Veristat LLC, Southborough, MA, USA; ¹⁸Global 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 23rd 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 timepoint 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 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%), 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 61 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 (1.36-NA)	1.5 (1.16-4.47)	1.7 (1.48-2.80)
6-Month PFS, % (95% CI)	15.6 (0.79-49.09)	11.1 (0.61-38.77)	0 (NA-NA)	12.5 (0.66-42.27)	10.4 (2.67-24.38)

CI - confidence interval; NA - not available; PFS - progression-free survival. Note: a patient was censored at date of randomization if death was observed without any post-baseline tumor assessments performed.

Objective Response Rate

Parameter	Arm 1 (N=9)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=9)	Arm 4 (N=9)	Overall (N=36)
Best Overall Response, n (%)	9	9	9	9	36
Complete Response (CR)	0	0	0	0	0
Partial Response (PR)	2 (22.2)	0	0	0	2 (5.6)
Stable Disease	1 (11.1)	1 (11.1)	0	3 (33.3)	5 (13.9)
Progressive Disease	4 (44.4)	8 (88.9)	5 (55.6)	5 (55.6)	22 (61.1)
Not Evaluable	2 (22.2)	0	4 (44.4)	1 (11.1)	7 (19.4)
Confirmed ORR, n (%) (95% CI)	2 (22.2) (2.81-50.01)	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 ¹ , days (95% CI)	124.5 (107.0-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	NA (NA-NA)	124.5 (107.0-NA)

¹ 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)
OS 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)	-	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)	-	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
[‡] pancreatic carcinoma (death was not related to treatment)

Most Common TEAEs (≥20% of Patients Overall, n (%))

Parameter	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 6;14(1):141. doi: 10.1186/s13014-019-1345-6. PMID: 31395066.

FUNDING: CanBas Co., Ltd.

DISCLOSURES: AstraZeneca, BioMed Valley Discoveries, Amgen, Takeda Oncology, NeolimunaTech, Abbvie, Hoosier Cancer Research Network, Eisai, CanBas, Arous Biosciences, Agenus, Tvardi, ECOG-ACRIN.

CONTACT INFORMATION

Corresponding authors emails:
Dr. Thomas Enzler (tanzler@med.umich.edu);
Dr. Athena Ruste (athena.ruste@veristat.com)



ポスター発表されたCBP501臨床第2相試験結果

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

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

可逆的XPO1阻害剂 CBS9106

進捗状況

- 臨床第1相試験完了 (2022年2月14日公表)

第1相試験データの評価と次相臨床試験検討の状況

- Stemline社SABは本試験で得られた安全性・有効性データを高く評価
- 次相臨床試験検討の状況
 - ✓ 臨床第2相試験は併用試験を想定し、CBS9106と組合せる併用薬の種類と対象癌腫の検討
 - ✓ 対象癌腫候補
 - 臨床第1相試験（対象：固形がん全般）では、複数の癌種への有効性を示唆
 - 大腸がん
 - KRAS変異がん
 - 腎臓がん
 - ESMO2020発表後の患者フォローなども踏まえて別の対象癌腫の可能性も

研究開発の状況

(2) 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

コンセプトのご紹介

- がんは古くから“wound never heal”（治らない傷）と呼ばれてきた
- 傷でも進行がんでも、起きることは同じ



- CBT005は消防作業(=炎症)終了指令を消防作業継続拡大指令に変える



■将来見通し等に関する注意事項

- ▶ 本資料は、当社に関する情報の提供のみを目的としたものであり、売買の勧誘を目的としたものではありません。
- ▶ 本資料における将来予想・見通し等に関する記述につきましては、目標や予測に基づいており、確約や保証を与えるものではありません。また、将来における当社の業績が、現在の当社の将来予想と異なる結果になることがある点を認識された上で、ご利用ください。
- ▶ 業界等に関する記述につきましても、信頼できると思われる各種データに基づいて作成しておりますが、当社はその正確性・完全性を保証するものではありません。
- ▶ 本資料は、受領者がいかなる目的にご利用される場合においても、本資料受領者ご自身のご判断と責任においてご利用されることを前提にご提示するものであり、当社はいかなる場合においてもその責任を負いません。

■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