CanBas
Cancer therapy by Basic research

株主報告会

2024年9月27日

株式会社キャンバス
（東証グロース 4575）

会社概要

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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　13名
  うち 研究開発部門 10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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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。

＊ 日比野敏之は2024年9月定時株主総会終結の時をもって取締役を退任しましたが、引き続きマネジメントチームの一員として研究開発部長の業務にあたります。

監査等委員会・SAB

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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。

決算・財務の状況

CanBas
Cancer therapy by Basic research

2024年6月期の業績 (1)損益計算書

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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）

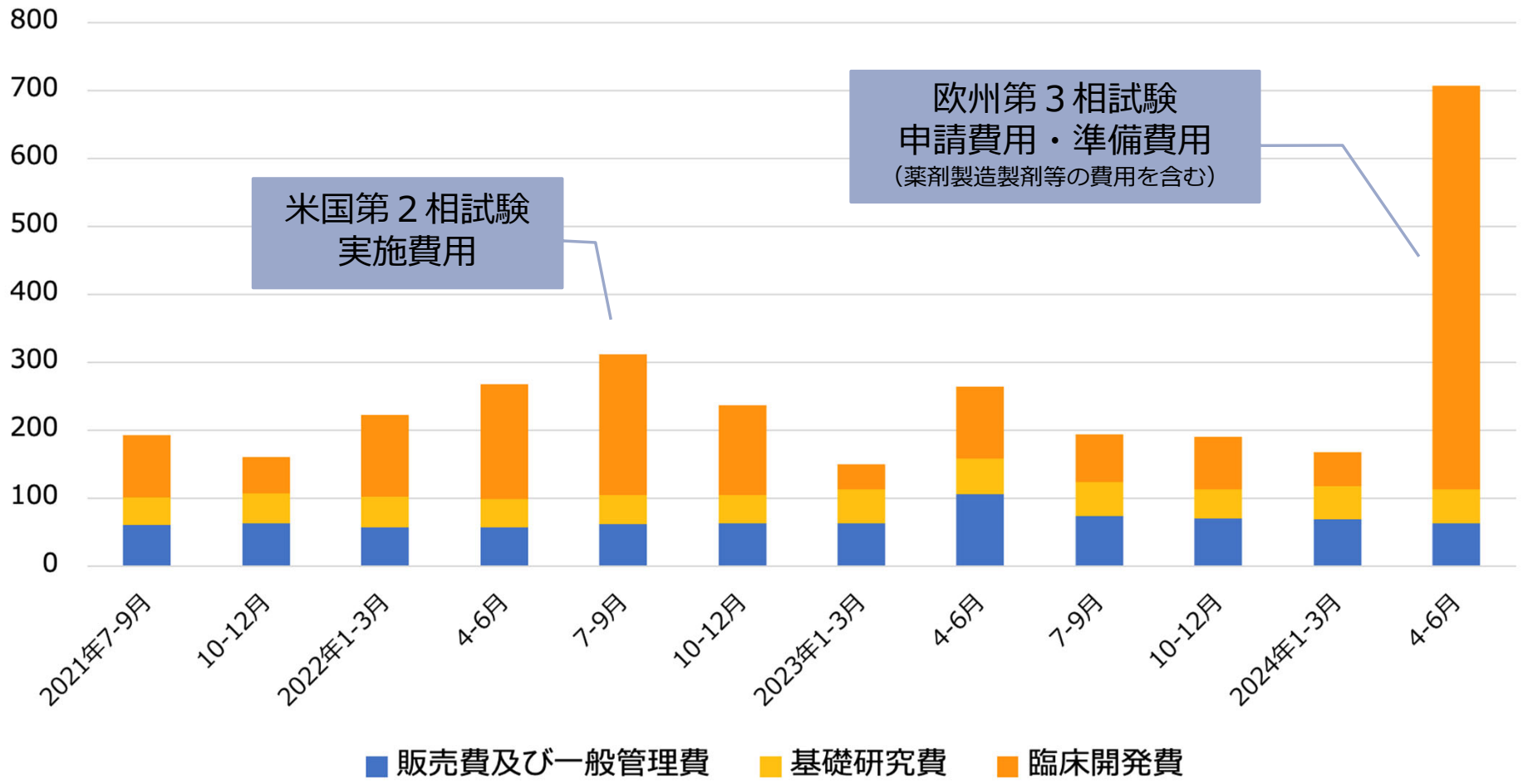
	2024年6月期	前期比	注
事業収益（売上高）	ー 百万円		
営業利益	△1,262 百万円	損失増加 297 百万円	
経常利益	△1,208 百万円	損失減少 75 百万円	
当期純利益	△1,209 百万円	損失減少 35 百万円	

*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。

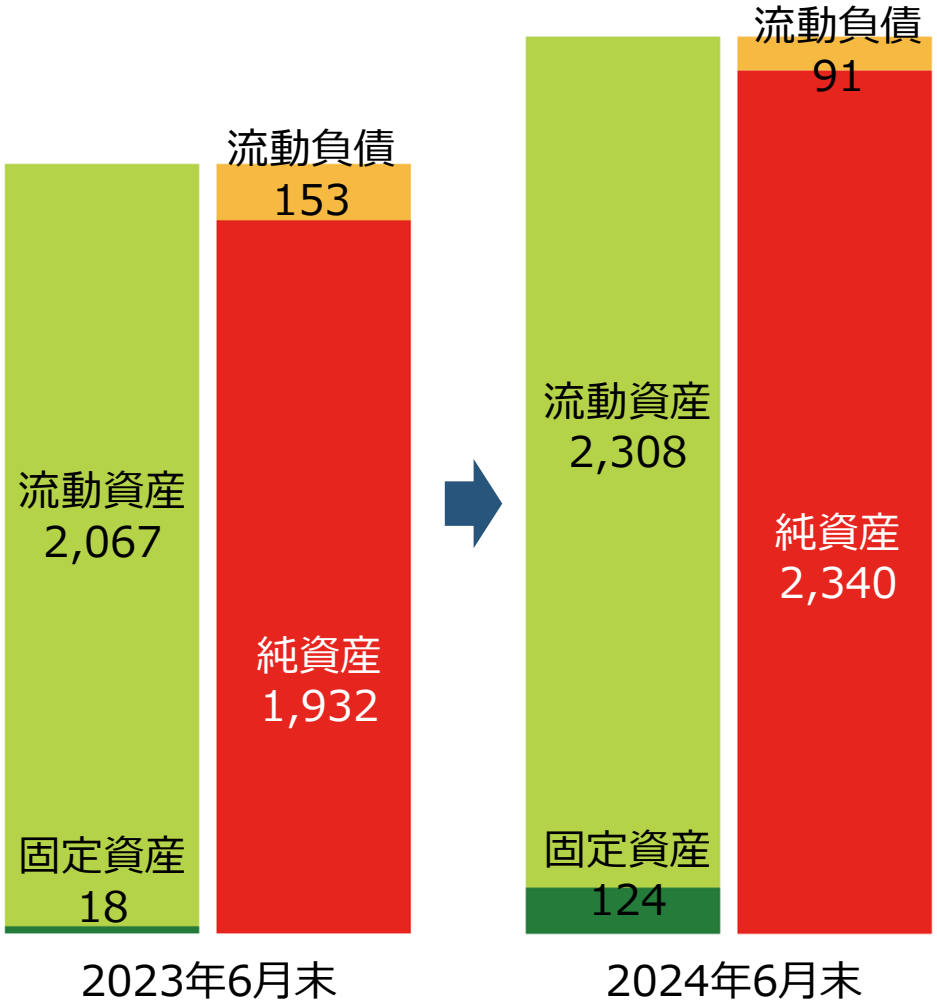
事業費用の四半期推移

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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限の備えへ
- 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

後発事象（2024年9月）
第19回新株予約権行使完了　731百万円
第20回新株予約権行使実行　423百万円

*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。

2024年2月公表の欧州シフト以降

CBP501臨床開発計画の状況

CanBas
Cancer therapy by Basic research

2024年2月公表情報

- 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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

CBP501臨床開発の展開（2024年2月公表情報*1と進捗）

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

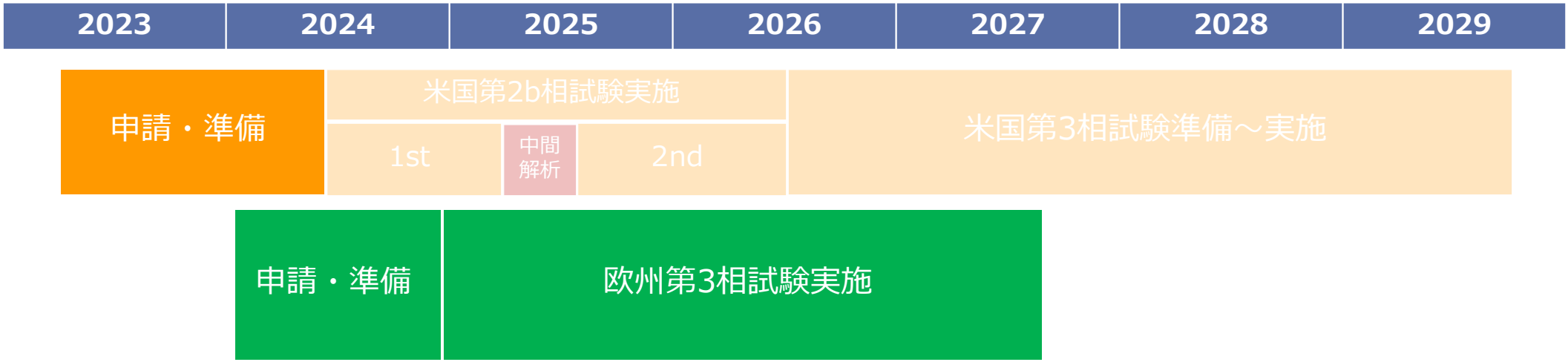
維持
2024年9月時点

*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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

開発の現状：「場合分け1」を想定して進行継続

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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**には不確実性が存在
- 一方で申請手続きには問題なく、現時点では場合分け2・3への移行は不要な状況と認識
- **時期以外**でも状況が悪化したときは、場合分け2への移行を検討。**現状はその兆候なし**
  - ✓ オーファンドラッグ指定受領などを通じたこれまでの状況判断

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

開発資金調達の状況

CanBas
Cancer therapy by Basic research

開発資金確保を図るファイナンスの実行（2023年5月）

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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があります。
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
合計金額	**5,846**		

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

- 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

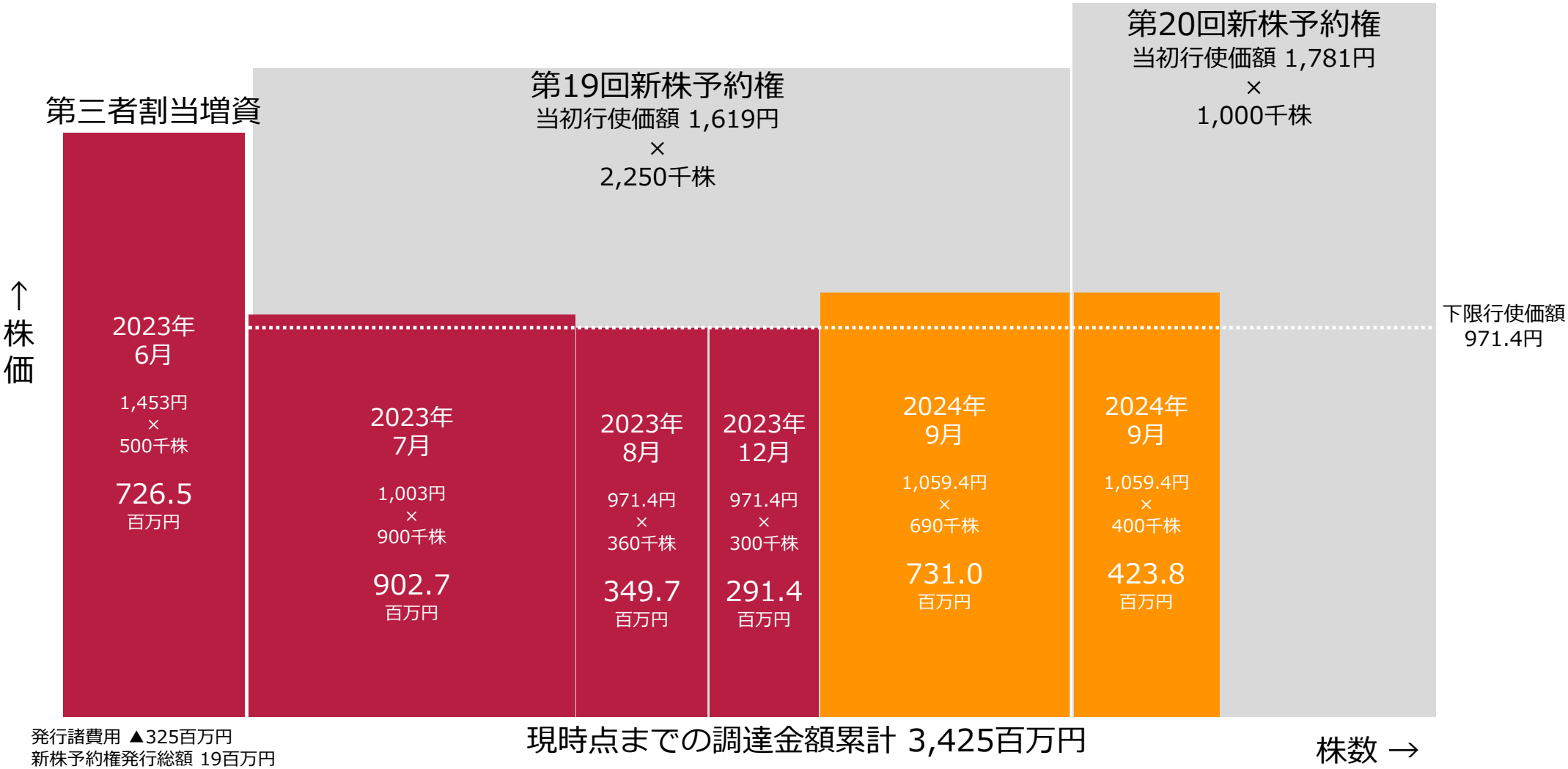
* 基礎研究費用には、前臨床試験以前の段階のパイプラインであるCBT005、CBP-A08、IDO/TDO二重阻害剤等に関する研究費用が含まれています。

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%
手法・諸条件	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 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

CanBas
Cancer therapy by Basic research



資金調達・開発資金確保に関する認識

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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相試験資金需要需要の不確実性
  - ✓ 当初の見込費用45～50億円
    - 一部は支出済み
    - プロトコール、実施施設数、組入ペースなどによって上下どちらにも変動の余地
- 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

開発パイプラインの状況

CanBas
Cancer therapy by Basic research

各パイプラインの歩み・現状・目標

CanBas
Cancer therapy by Basic research



CBP501

2000 2003 2005 2010 2013 2017 2024 2027

現在

目標：2027年上市

CBS9106

Stemline 提携

2014 2016

現在

目標：Stemline社臨床開発へのサポートと開発促進によるマイルストーン受領実現の早期化

CBT005

前臨床試験準備開始

2024

目標：前臨床試験早期開始

CBP-A08

臨床開発段階にある2つの化合物 この1年の動き

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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27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）

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

CanBas
Cancer therapy by Basic research

中長期の企業価値の源泉として重視

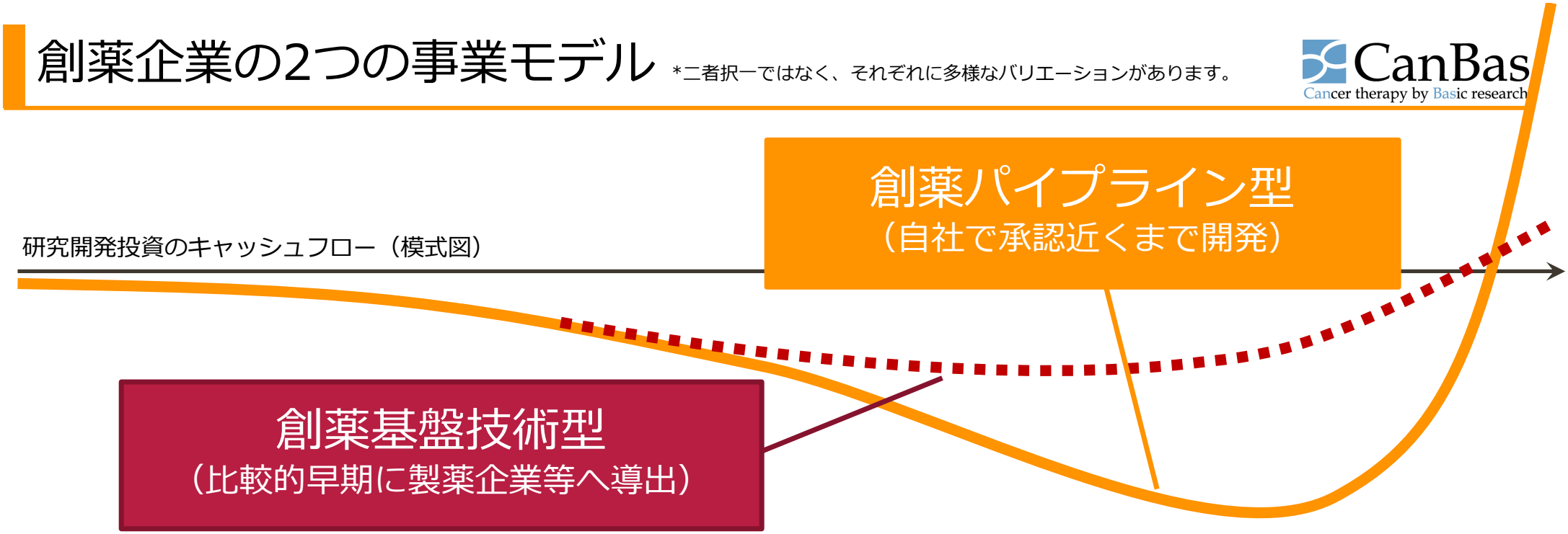
	探索・創出	最適化	前臨床試験	臨床試験	提携・導出 共同研究等
CBP501 **創薬パイプライン型展開**				第2相試験完了 主要評価項目達成 **米国第2b相試験開始承認取得・欧州第3相試験準備**	
CBS9106 **創薬基盤技術型展開**	前臨床試験終了し導出済み			**第1相試験完了**	Stemline社
CBT005 NEXTプロジェクトから創出 がんの「治癒」を目指す 新たな免疫系抗がん剤	**前臨床試験準備**				日本大学
CBP-A08 CBP501の系譜に属する ペプチド型免疫系抗がん剤	**最適化**終了				
IDO/TDO阻害剤 ほか※					静岡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

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。

CanBas
Cancer therapy by Basic research



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

キャンバスの事業モデル

CanBas
Cancer therapy by Basic research

- 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。

現在最も先行し注力しているパイプライン

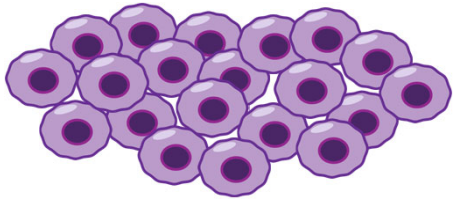
免疫着火剤 CBP501

CanBas
Cancer therapy by Basic research

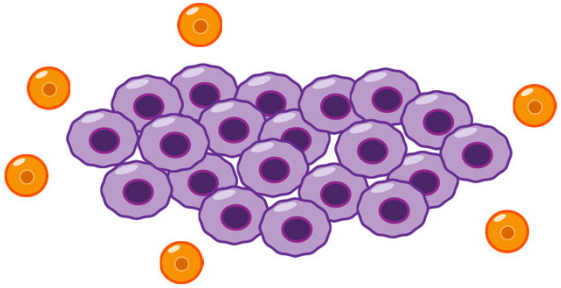
免疫系抗がん剤の効きにくい「免疫コールド」ながん

CanBas
Cancer therapy by Basic research

攻撃するための
T細胞がいない
免疫砂漠

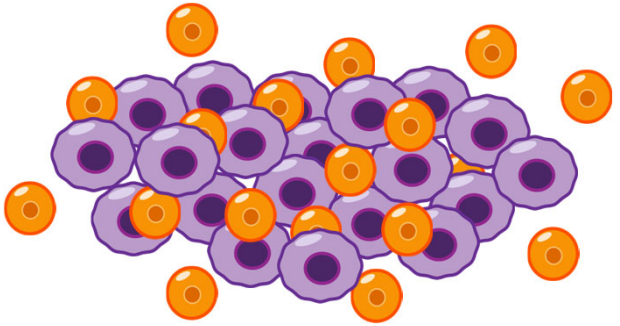


T細胞ががん組織に
入り込めていない
免疫排除



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

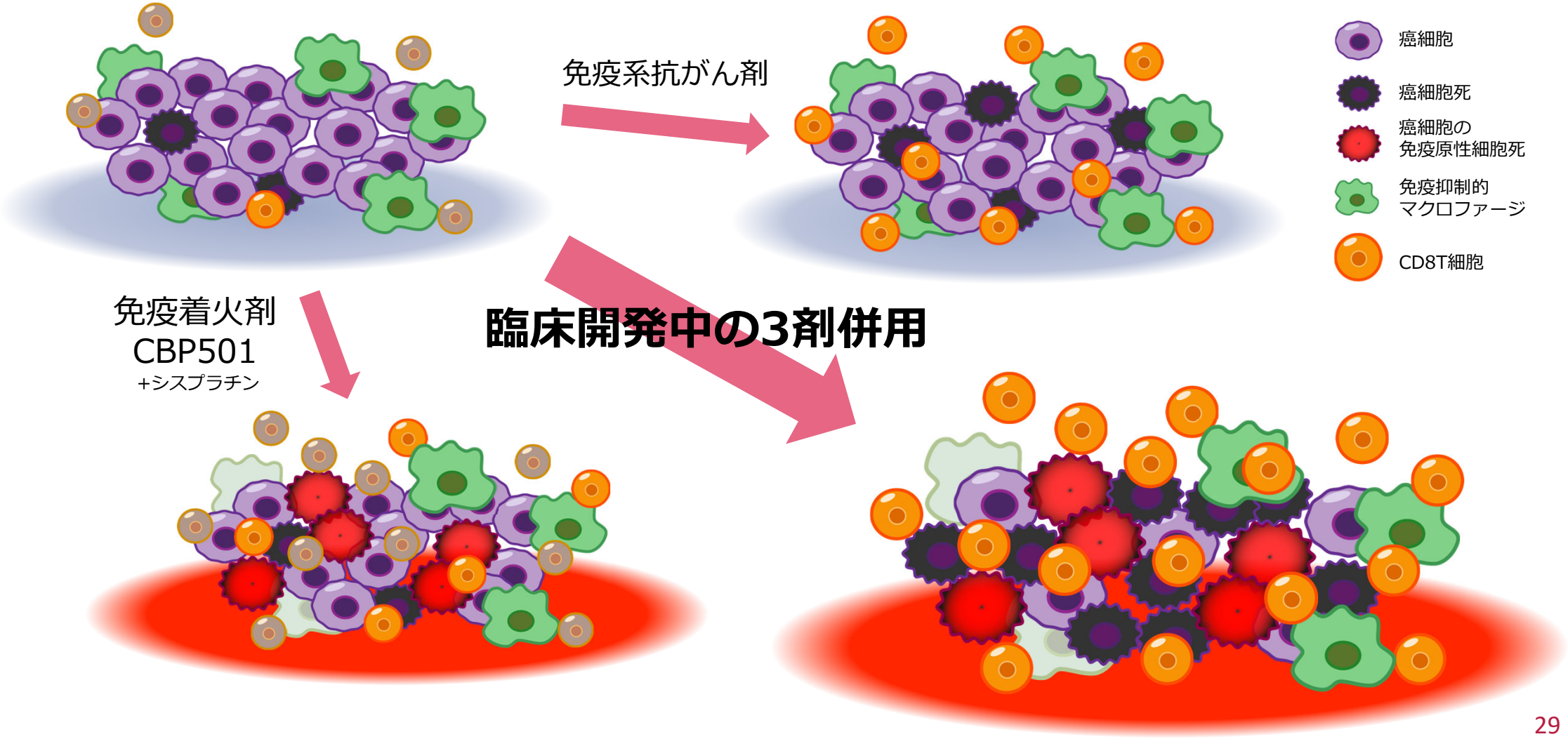
T細胞が十分いて
がんを攻撃できる
免疫ホット



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

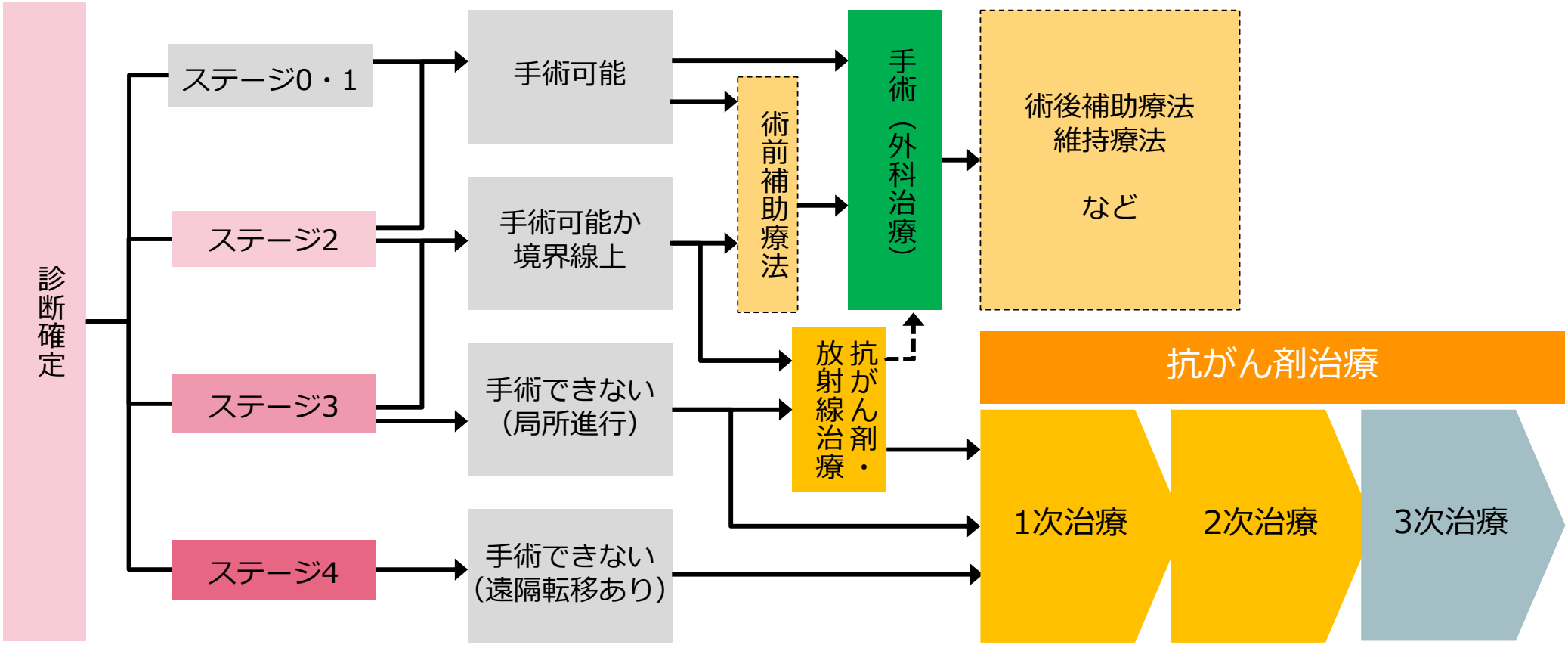
CanBas
Cancer therapy by Basic research



膵臓がん治療の現状 (1)

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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)

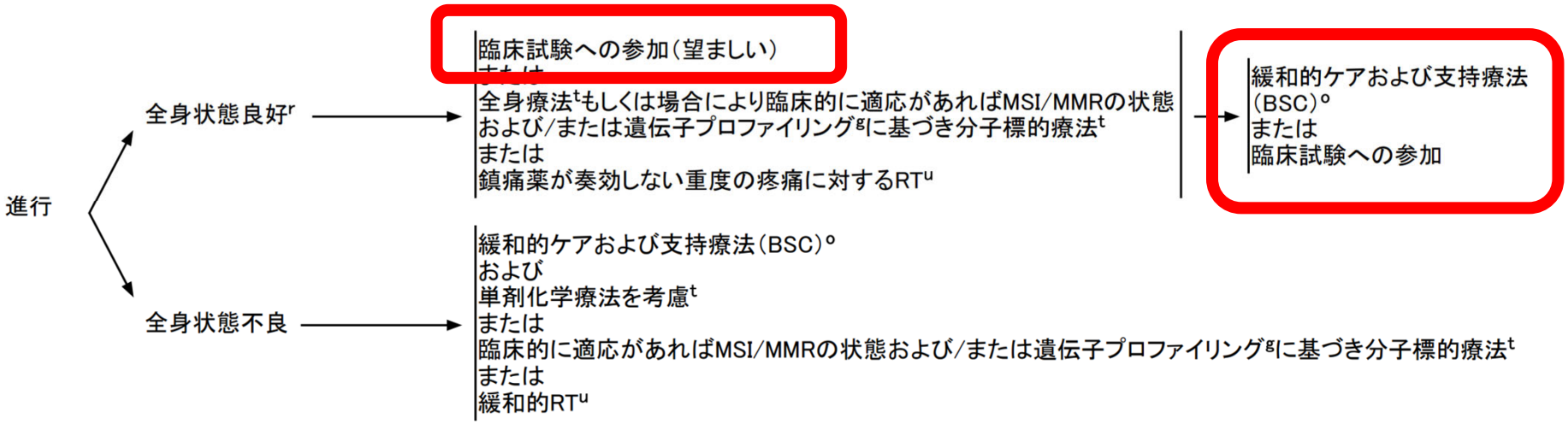
CanBas
Cancer therapy by Basic research

- 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

National Comprehensive Cancer Network®

NCCN Guidelines Version 2.2021
膵癌（腺癌）

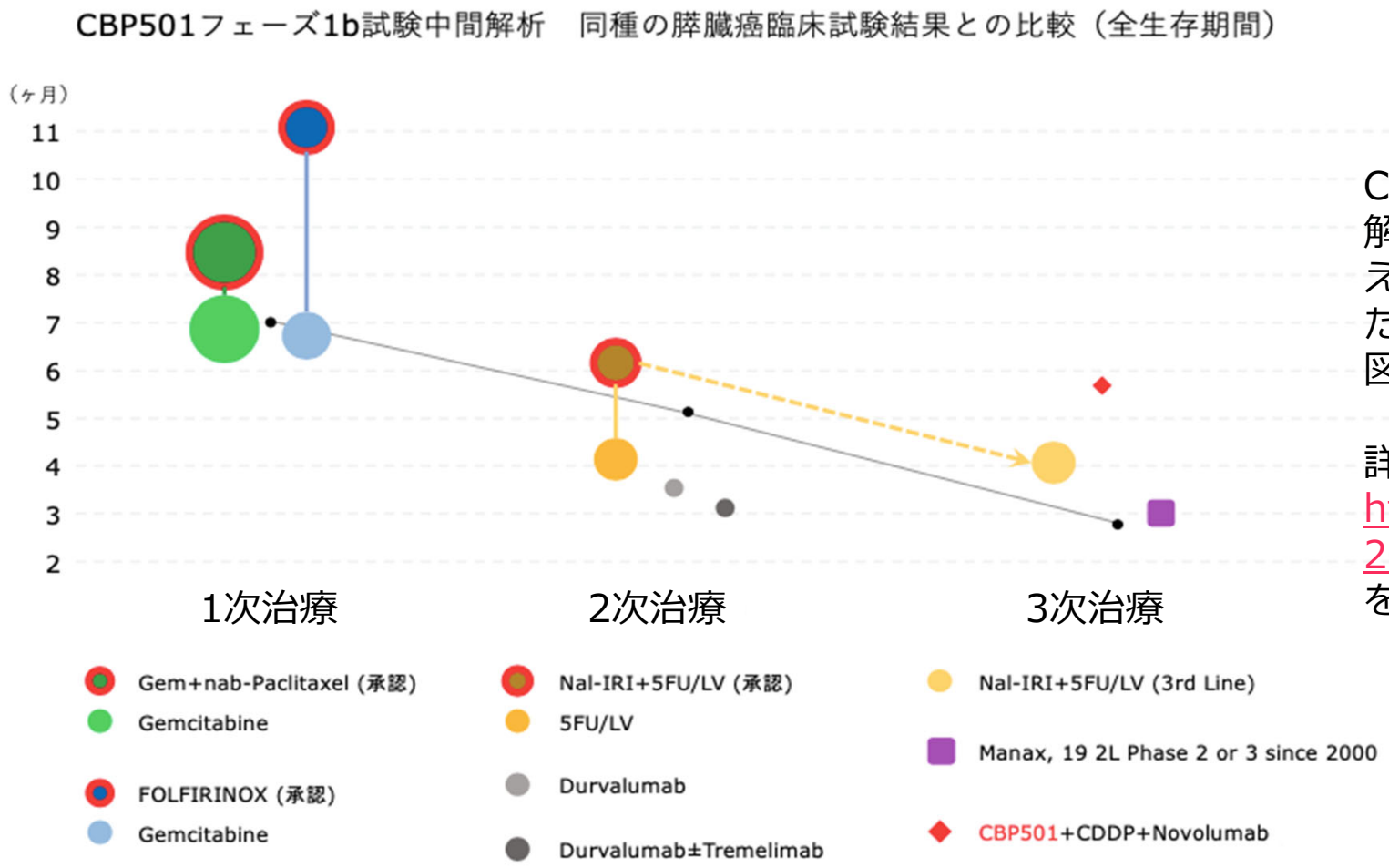
ガイドライン索引
目次
考察



※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）

CanBas
Cancer therapy by Basic research



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

CBP501臨床第2相試験データ学会発表

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）

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. Enzler[1], A. Nguyen[2], J. Misleh[3], V.J. Cline[4], M. Johns[5], N. Shumway[6], A. S. Paulson[7], R. Siegel[8], T. Larson[9], W. Messersmith[10], D. Richards[11], J. Chaves[12], E. Pierce[13], M. Zalupski[14], V. Sahai[15], D. Orr[16], T. Kawabe[17], S.A. Ruste[18], A. Haun[19]

[1]Medicine Department, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA;[2]Medicine Department, Comprehensive Cancer Centers of Nevada, Henderson, NV, USA;[3]Medical Oncology, Medical Oncology Hematology Consultants PA, Newark, Detroit, MI, USA;[4]Oncology, Texas Oncology Austin, Austin, TX, USA;[5]Medical Oncology, Oncology Hematology Care Inc., Cincinnati, OH, USA;[6]Oncology, Texas Oncology San Antonio, San Antonio, TX, USA;[7]Medical Oncology Department, Texas Oncology - Baylor Sammons Cancer Center, Dallas, TX, USA;[8]Oncology, Illinois Cancer Specialists, Arlington Heights, IL, USA;[9]Oncology, Minnesota Oncology, Minneapolis, MN, USA;[10]Oncology, University of Colorado Cancer Center Anschutz Cancer Pavilion, Aurora, CO, USA;[11]Oncology, Texas Oncology-Tyler, Tyler, TX, USA;[12]Oncology, Northwest Medical Specialties, Tacoma, WA, USA;[13]Oncology, Ochsner Clinic Foundation, New Orleans, LA, USA;[14]Oncology, University of Michigan Health System, Ann Arbor, MI, USA;[15]Oncology, University of Michigan, Ann Arbor, MI, USA;[16]Oncology, Mary Crowley Cancer Research Center, Dallas, TX, USA;[17]Oncology, CanBas Co., Ltd., Numazu City, Shizuoka Pref., Japan;[18]Medical Affairs, Veristat LLC, Southborough, MA, USA;[19]Global 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 rate[1]. 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 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 ≤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 81 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** (1.48-2.80)
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 (%)					
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)
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=8)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=8)	Arm 4 (N=8)	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)ǂ
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 ǂ 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 (%)	Arm 1 (N=8)	Arm 2 (N=9)	Arm 3 (N=8)	Arm 4 (N=8)	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 chemoimmunotherapy treatment combination warrants further investigation.

REFERENCES

Orth M, Metzger P, Gerum S et al. Pancreatic ductal adenocarcinoma: biological hallmarks, current status, and future perspectives of combined modality treatment approaches. Radiat Oncol. 2019 Aug 8;14(1):141. doi: 10.1186/s13014-019-1345-6. PMID: 31395068.

FUNDING: CanBas Co., Ltd.
DISCLOSURES: AstraZeneca, BioMed Valley Discoveries, Amgen, Taiho Oncology, NeoImmuneTech, Abbvie, Hoosier Cancer Research Network, Exelixis, CanBas, Arcus Biosciences, Agenus, Tvardi, ECOG-ACRIN.

CONTACT INFORMATION

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

MADRID SPAIN
20-24 OCTOBER 2023

CBP501臨床第2相試験データ学会発表

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

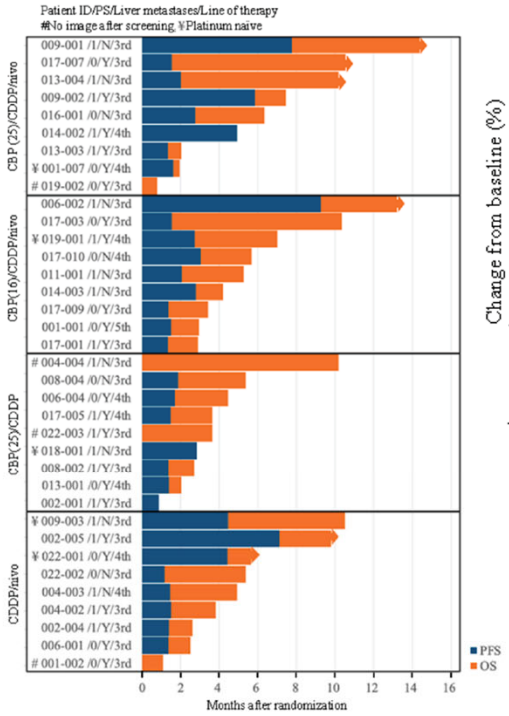
CBP501・シスプラチン・ニボルマブの併用療法は、転移性膵臓腺がんに対する3次治療として、**忍容性のある安全性**で、３ヶ月無増悪生存率、無増悪生存期間および全生存期間において、**持続的な奏効**と**臨床的に意義のある改善**をもたらした。
この化学免疫併用療法は、さらなる検討を進めるべきである。

CBP501臨床第2相試験データ論文発表

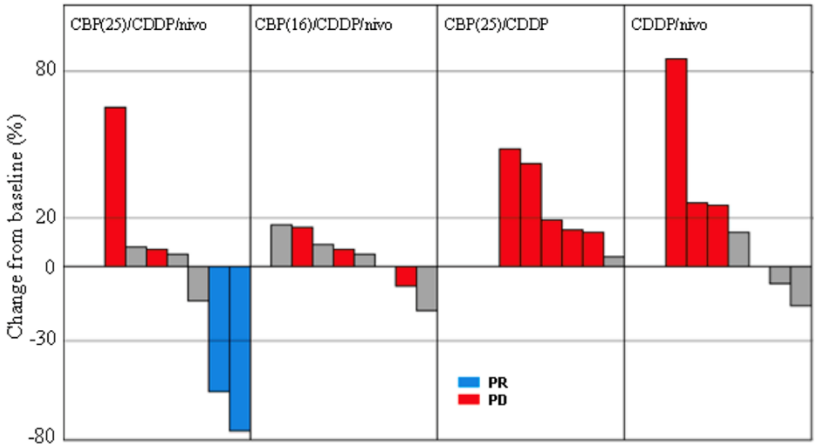
CanBas
Cancer therapy by Basic research

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

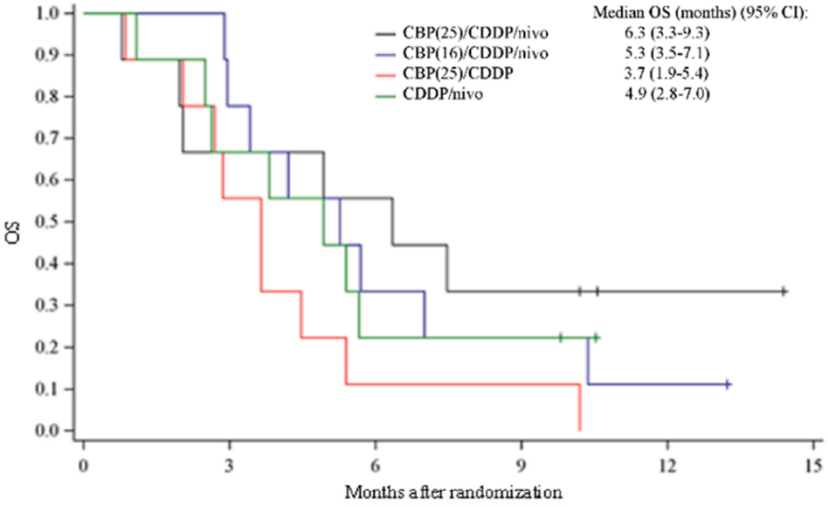
■ **個別症例のPFSとOSを示すスイマープロット図**



■ **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**

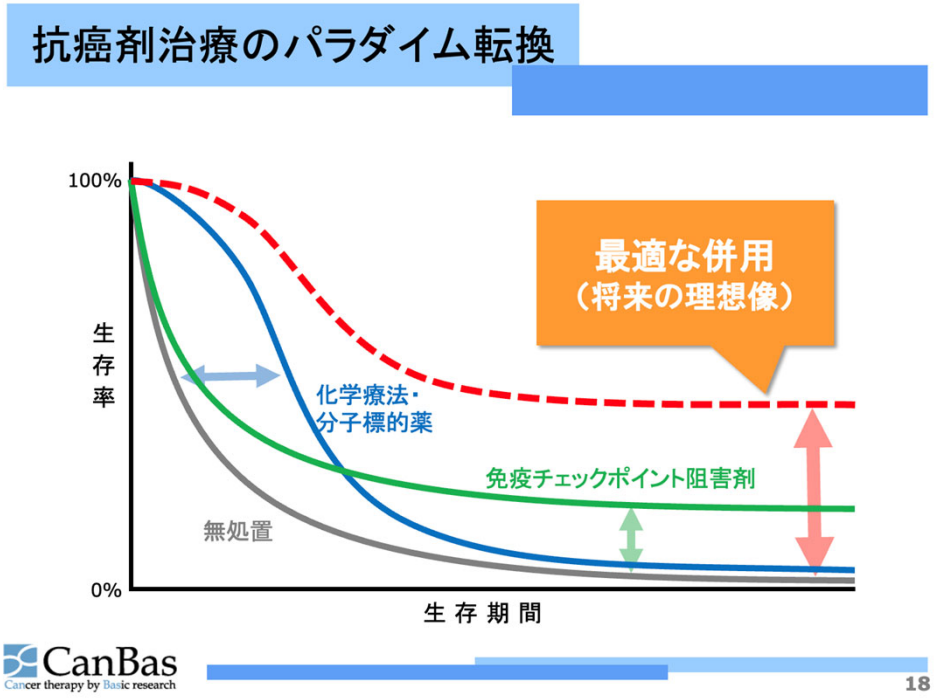


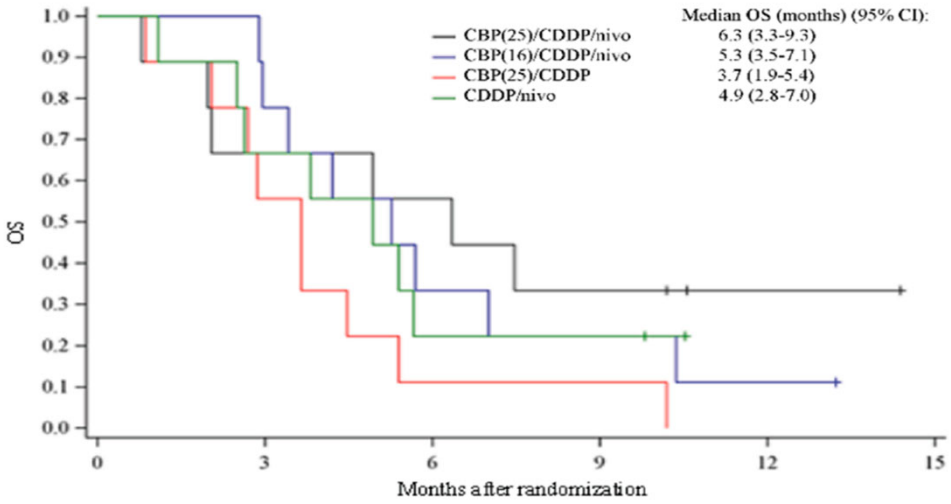
これらデータの解説は当社ウェブサイトのブログ記事
https://www.canbas.co.jp/post-3525/ をご参照ください

目指してきた「最適な併用」への前進

CanBas
Cancer therapy by Basic research

- 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」

その他のパイプライン

CanBas
Cancer therapy by Basic research

臨床試験～基礎研究段階のプロジェクトの状況

CanBas
Cancer therapy by Basic research

- **可逆的XPO1阻害剤 CBS9106**（Felezonexor）
  - ✓ ライセンス先Stemline社で臨床第1相試験終了、次相試験検討継続
- **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）・米国で特許査定受領（2024年9月10日公表）
- NEXTプロジェクト
- 抗がん剤感受性予測システム

キャンバスを知る情報源

CanBas
Cancer therapy by Basic research

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6,500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）

CanBas

Cancer therapy by Basic research

本資料に関するお問い合せ先：　株式会社キャンバス　管理部 IR担当　Email　IR@canbas.co.jp