

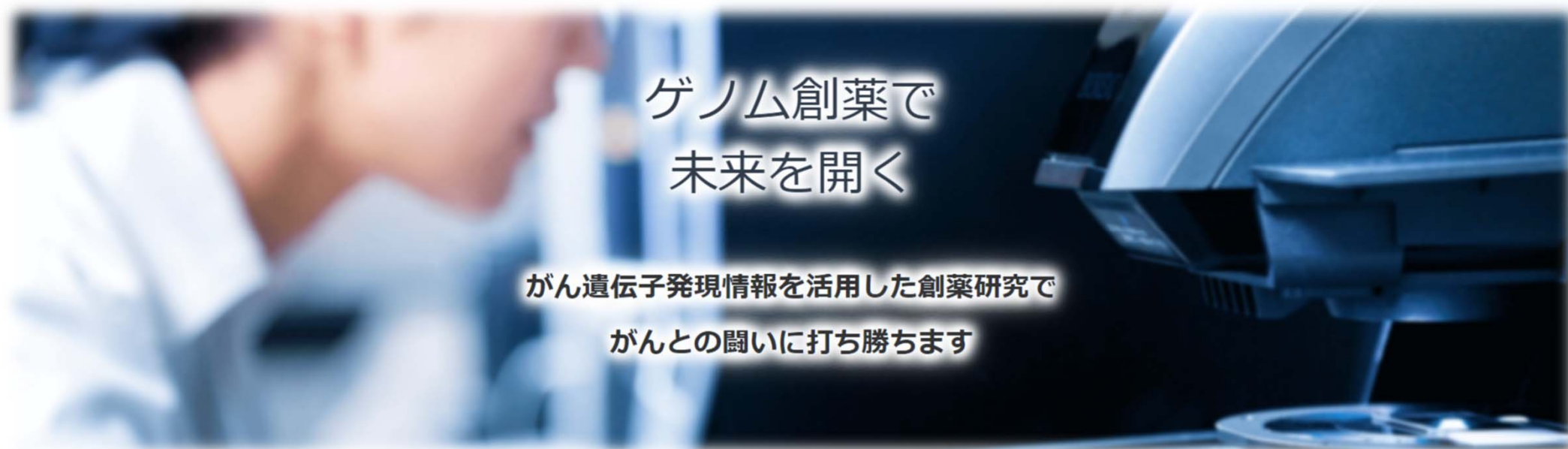
オンコセラピー・サイエンス株式会社

OncoTherapy Science, Inc.

証券コード：4564

事業計画及び成長可能性に関する事項

2021年12月20日



会社名

オンコセラピー・サイエンス株式会社
神奈川県川崎市高津区坂戸3丁目2番1号

当社のミッション

「より副作用の少ないがん治療薬・治療法を一日も早くがんを苦しむ患者さんに届けること、がんとの闘いに勝つこと」

オンコセラピー・サイエンス株式会社は、元東京大学医科学研究所ヒトゲノム解析センター長 中村祐輔 教授のがん遺伝子に関わる成果を基に、がん関連遺伝子および遺伝子産物を標的としたがん治療薬、がん治療法の研究開発を目的とする大学発ベンチャーとして2001年に設立されました。

社名の由来 onco(オンコ)とは



ラテン語で「オンコ」とは腫瘍（がん）を意味しており、当社の名前“オンコセラピー・サイエンス（OncoTherapyScience）”は、科学的アプローチによるエビデンスに基づいたがん治療の意味を込めて命名いたしました。また、当社のロゴマークは、欒（イチイ）の木の実を表しております。欒は、アイヌ語で「オンコ」と言い、「神の木」を意味します。当社は、厳しい環境の中でしっかりと根を張り、神の木として成長し続けるオンコの木の様に、敢然とがんを立ち向かうバイオベンチャーであり続けたいと願っております。

1. 会社概要

(1) 当社グループの事業領域

オンコセラピー・サイエンス (略称OTS)
(<https://www.oncotherapy.co.jp/>)



2001年4月～

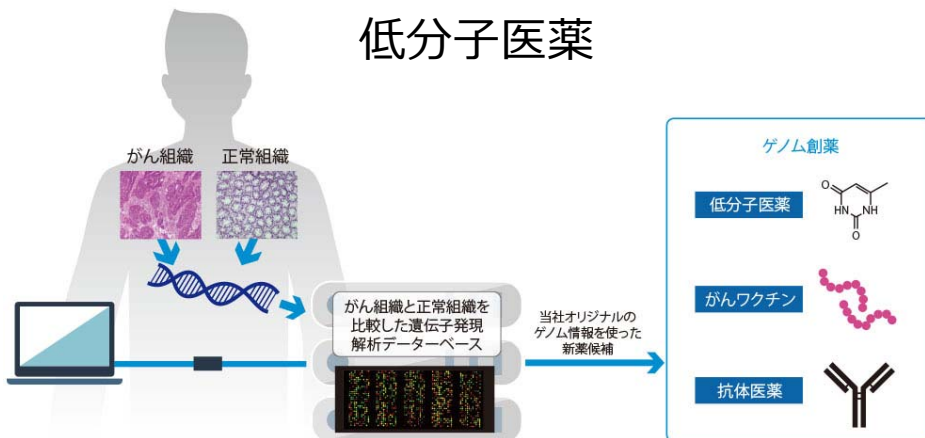


2017年7月～

株式会社Cancer Precision Medicine (略称CPM)
(<https://www.cancerprecision.co.jp/>)

医薬品の研究開発

がんワクチン
抗体医薬
低分子医薬



遺伝子解析サービス

(全エクソーム、ネオアンチゲン等)
免疫反応解析
リキッドバイオプシー
がん免疫治療研究開発

※クリニカルラボを衛生検査所登録済
(川崎市指令健医第288号 衛生検査所登録第293号)

※がん遺伝子発現情報を活用した創薬研究

OTSでは、がん分子標的治療薬の開発に適した標的遺伝子を多数同定しています。これらの標的遺伝子の発現様式や局在、機能、免疫原性など、遺伝子の特性に応じて、様々な角度から創薬研究・開発を進めています。

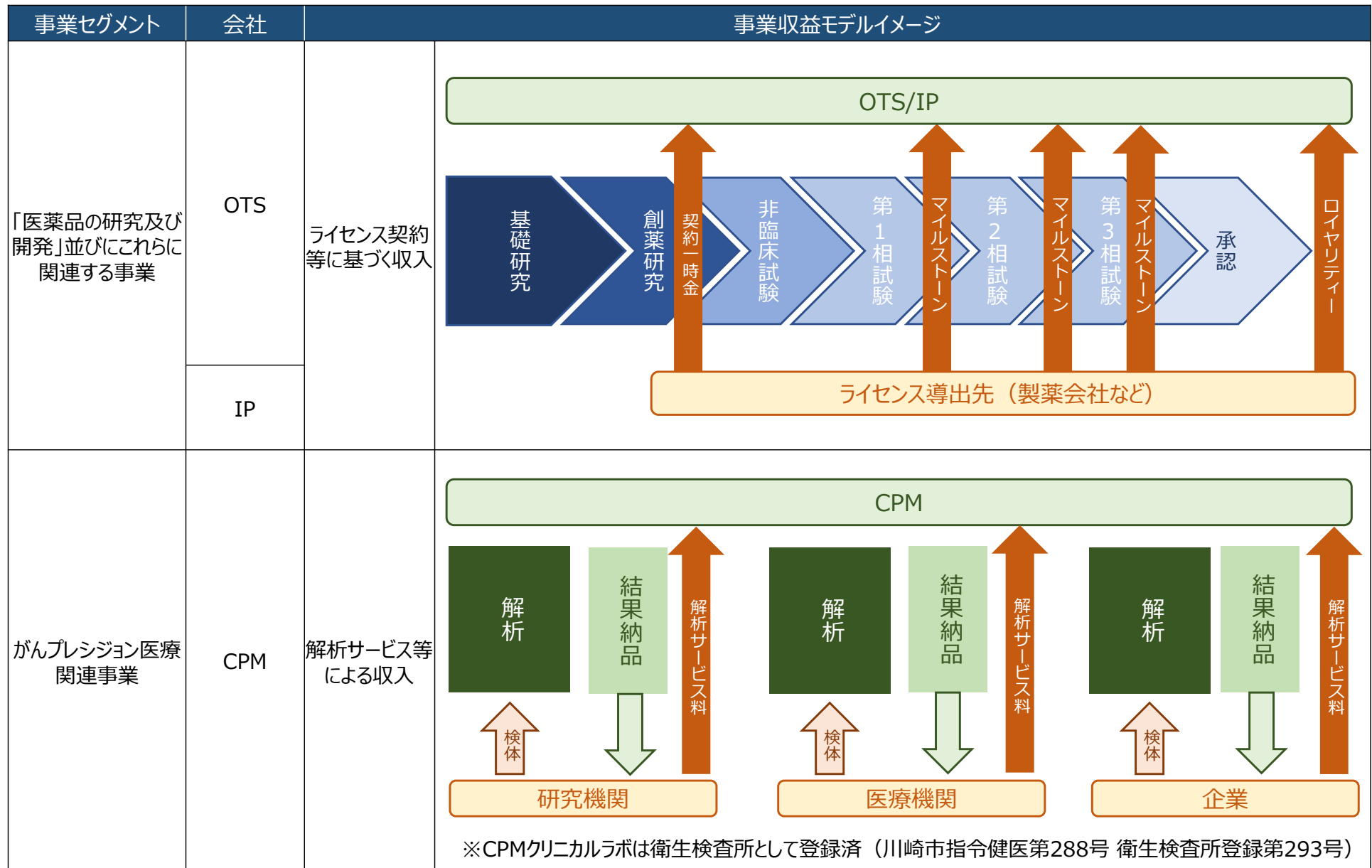
イムナス・ファーマ株式会社(略称IP)

2004年8月～

抗体医薬の商業化

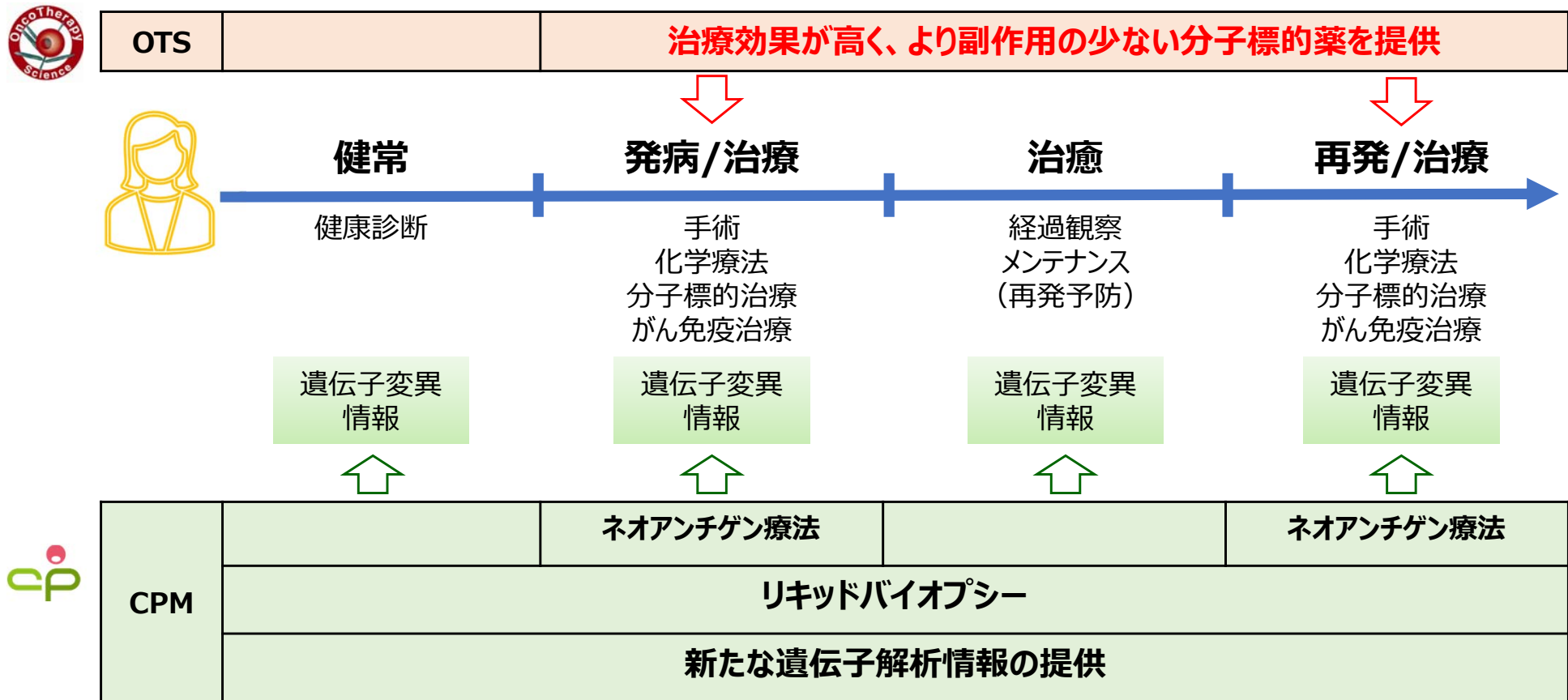
1. 会社概要

(1) 当社グループの事業領域～主要ビジネスモデル～



1. 会社概要

(1) 当社グループの事業領域



未だ有効な治療法が確立されていない疾患のうち、ニーズの高い領域に対する創薬研究開発
患者のゲノム情報をもとに最適な医療が提供できるシステム構築、個人の健康ステージに合わせ、以下のようなソリューションを提供

<診断> → 早期発見が可能な診断法の開発
 ・患者負担の小さい診断法(リキッドバイオプシー等)
 ・早期診断バイオマーカー※の同定

<治療> → 治療効果が高く、より副作用の少ない治療薬開発
 ・低分子化合物
 ・抗体医薬
 ・がんワクチン(オンコアンチゲン、ネオアンチゲン)

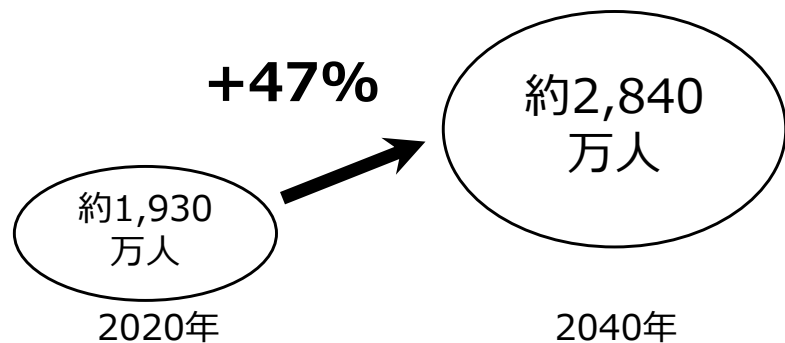
<治療効果モニタリング・再発早期発見>
 ・リキッドバイオプシー
 ・治療効果関連バイオマーカー※の同定

※バイオマーカー：ある疾患の有無や、進行状態を示す目安となる生理学的指標のこと。
 主に血圧や心拍数、血液検査の結果等生体由来のデータが使用される。

1. 会社概要

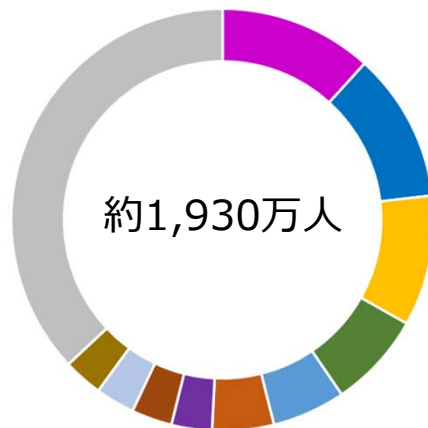
(2) 世界的ながん治療薬開発の動向

世界におけるがん患者数

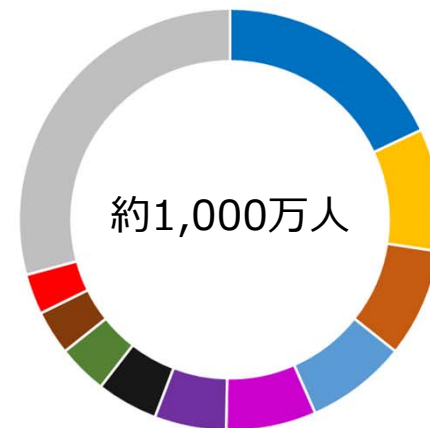


※新たに診断されたがん罹患の数

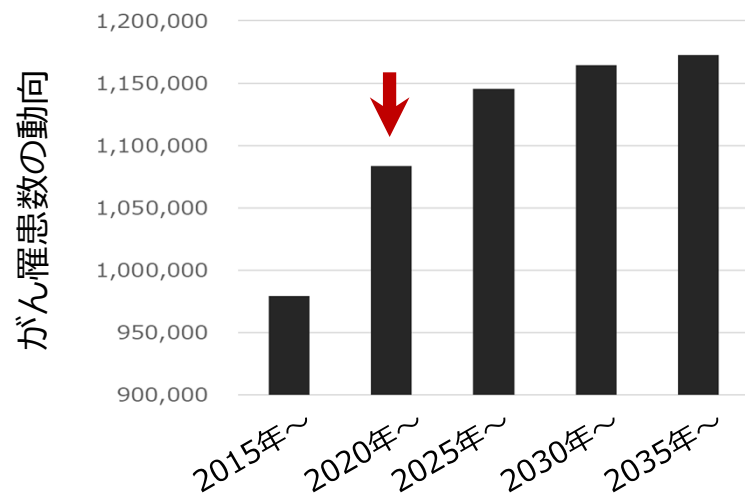
世界のがん罹患数※



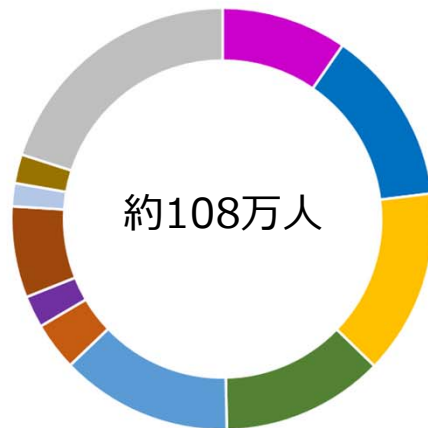
世界のがん死亡数



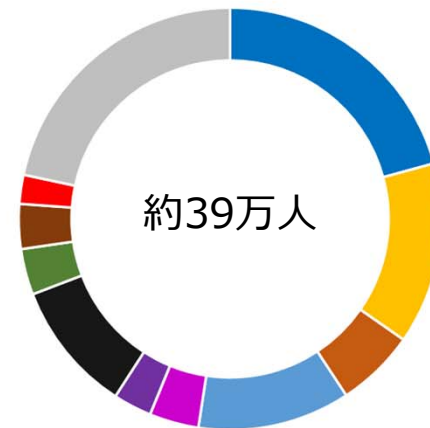
国内のがん患者数



国内のがん罹患数※



国内のがん死亡数



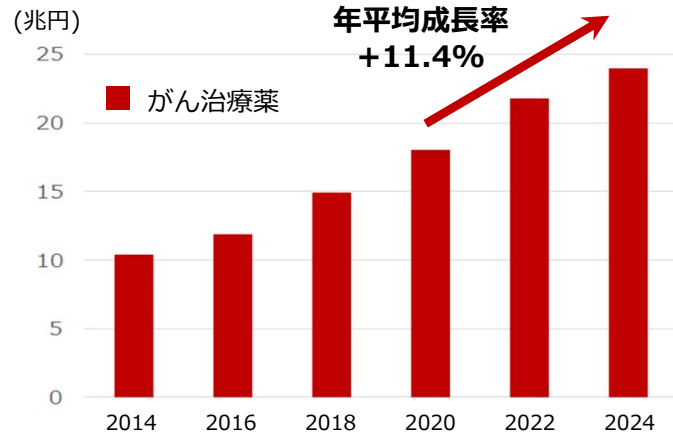
乳房	前立腺	食道	膀胱	その他
肺	胃	子宮	膵臓	
大腸	肝臓	甲状腺	白血病	

出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin.
 平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)(一般)日本人におけるがんの原因・寄与度：最新推計と将来予測
 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」

1. 会社概要

(2) 世界的ながん治療薬開発の動向

世界医薬品市場(がんのみ)



がん免疫療法 (免疫チェックポイント阻害剤など) の急速な伸長

※ アメリカで、がん免疫療法を受けた患者さんの人数

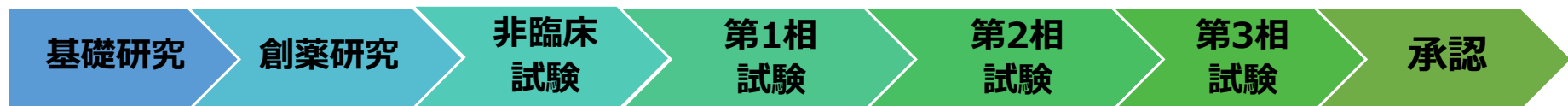
2014年 : 2,000人

2016年 : 96,000人

2018年 : 212,000人 (概算)

出典 : EvaluatePharma, World Preview 2019
IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2019

新薬の開発から承認まで



新薬候補
特許出願

10.1年 (平均)

※ がん以外の新薬開発期間 : 18年 (平均)

出典 : IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2019

※上記「10.1年」「18年」は研究期間・開発戦略等に要する期間、その他治験薬特性や対象疾患等様々な特殊要因を持つ試験は含まず、画期的治療薬の統計上の数字 (平均) として公表されているものです。当社治験期間の参照とするものではありません。

科学的エビデンス
新たな作用機序と開発戦略
バイオマーカー
(生物学的指標)

画期的治療薬指定
優先審査制度
迅速承認制度

開発期間短縮に
つなげる動き

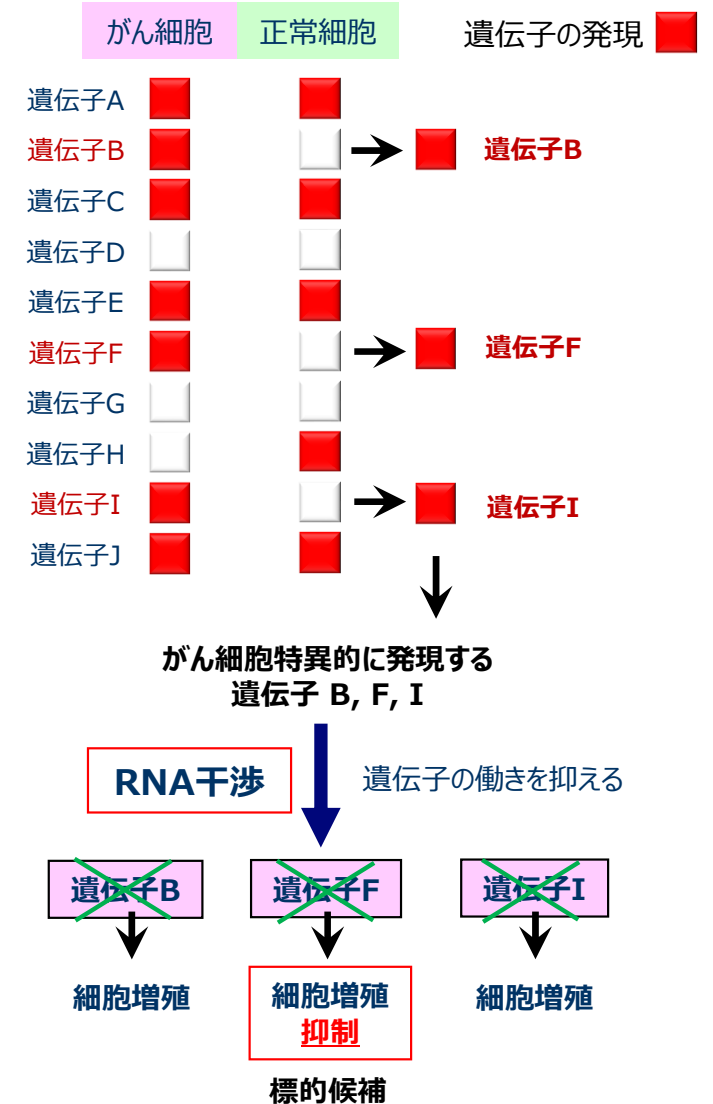
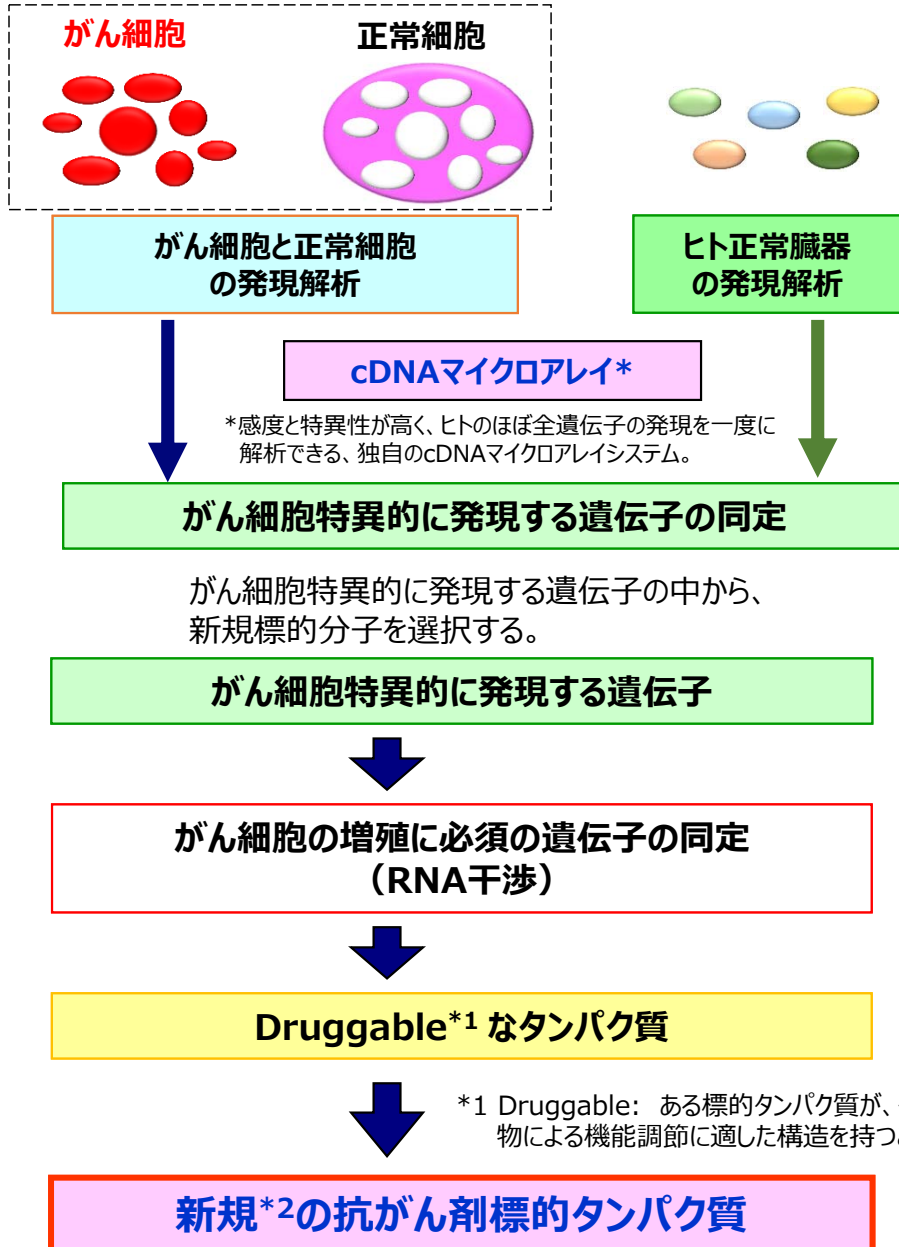
※FDA (米国食品医薬品局) プログラム

1. 会社概要

(3) 当社グループの特徴

LMM (Laser Microbeam Microdissection) により
がん組織からがん細胞だけを高純度に単離する。

OTSの基盤技術：独自の新規抗がん剤標的の同定



*1 Druggable: ある標的タンパク質が、低分子化合物による機能調節に適した構造を持つこと。

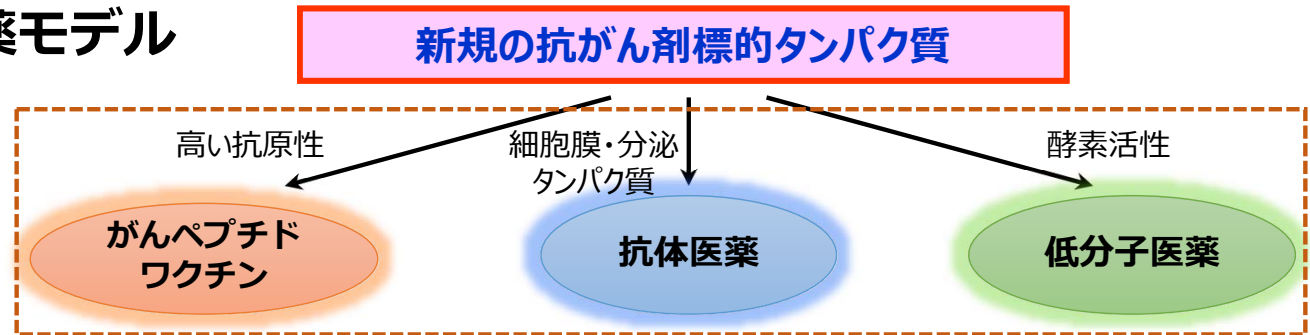
*2新規標的のため、新しい作用機序での抗腫瘍効果が期待できる。

1. 会社概要

(3) 当社グループの特徴

革新的基盤技術に基づく創薬モデル

- ・ 大学・研究機関との提携、共同研究
- ・ 科学的エビデンスを論文・学会発表
- ・ 特許出願



当社の競合優位性：国内バイオベンチャーとの比較

	オンセラピー・サイエンス	A 社	B 社	C 社
治療領域	がん/(中枢)	循環器/疼痛/感染症	がん/感染症	がん/感染症/中枢
研究開発プラットフォーム	<ul style="list-style-type: none"> ・ ペプチドワクチン ・ 低分子 ・ 抗体 	<ul style="list-style-type: none"> ・ 核酸医薬 ・ DNAワクチン 	<ul style="list-style-type: none"> ・ ペプチドワクチン ・ 細胞 ・ 抗体 (探索段階) 	<ul style="list-style-type: none"> ・ ウイルス ・ 低分子
Pipeline (開発品数) ¹⁾	9	8	3	8
特許登録件数 ²⁾	114	57	3	6
論文数 ³⁾	39	17	4	31

¹⁾Phase 1～申請準備の開発プロジェクト数

²⁾J-PlatPat検索結果；日本で登録された特許件数 (2021年10月時点)

³⁾PubMed検索結果；社員がAuthorに含まれる論文数 (2021年11月時点)

* A~C社、当社と創業または事業形態に近いバイオベンチャー

1. 会社概要

(3) 当社グループの特徴

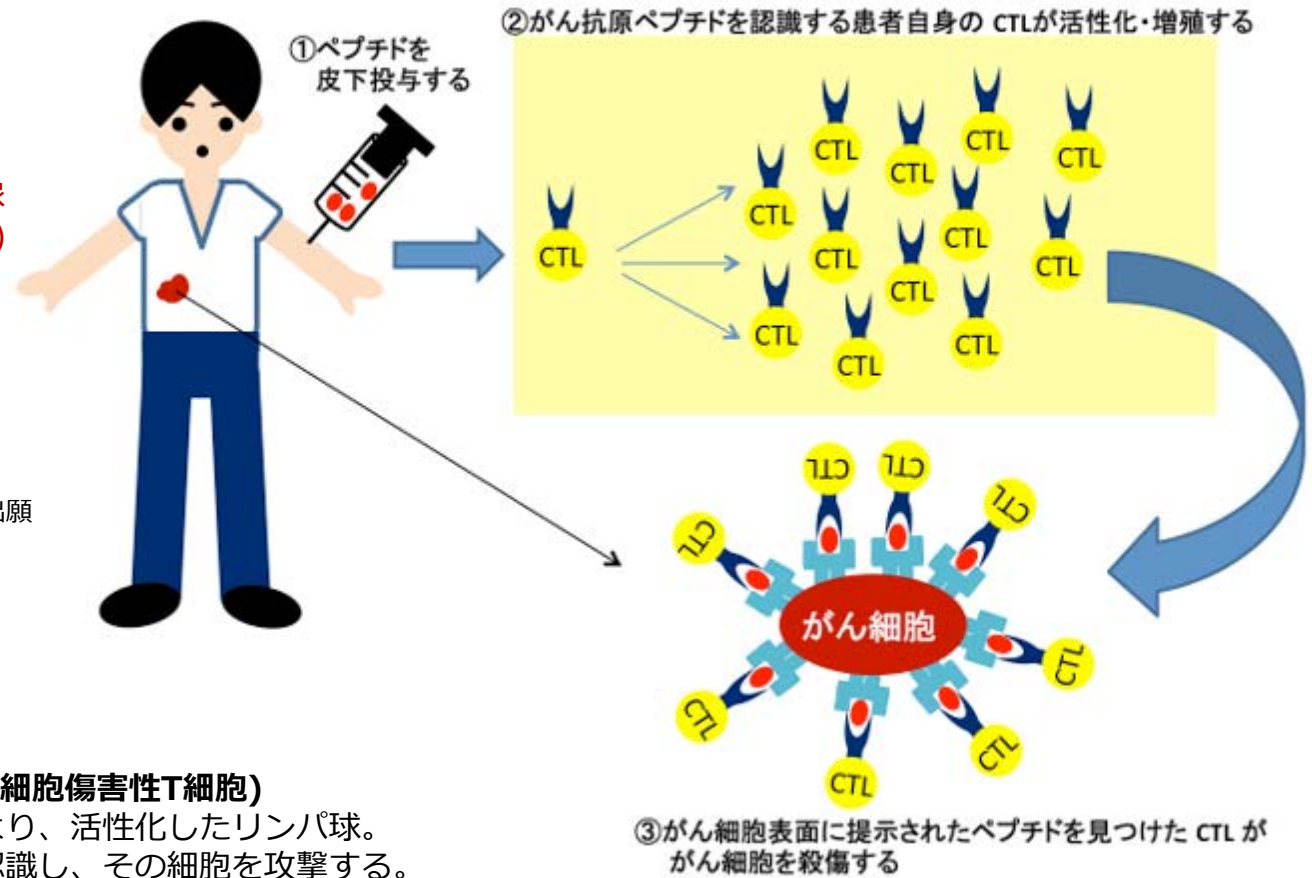
がん免疫療法開発の様々なノウハウ

がんペプチド ワクチン

2万個以上の遺伝子から、計43遺伝子を対象としたタンパク質断片(エピトープペプチド)を既に同定

※ 特許出願件数で、OTSは
「がん免疫療法」全体で世界20位
「がんワクチン療法」分野で世界3位

出典：AnswersNews（2019.6.20）、2018年度の特許出願技術動向調査報告書



CTL CTL(Cytotoxic T lymphocyte、細胞傷害性T細胞)
投与されたがん特異的ペプチドにより、活性化したリンパ球。TCRを介してがん抗原ペプチドを認識し、その細胞を攻撃する。

TCR TCR(T cell receptor、T細胞受容体)
CTLが、がん抗原ペプチドを認識する際に使用する受容体。

HLA分子
断片化されたがん抗原ペプチドを細胞の表面に差し出す役割を持つ。差し出されたペプチドを認識したCTLは、その細胞への攻撃を開始する。

がん抗原ペプチド
HLA分子によってがん細胞の表面に差し出された、がんの目印となるペプチド。

1. 会社概要

(3) 当社グループの特徴

革新的技術基盤

がん遺伝子解析技術

がん遺伝子発現情報を
活用した創薬研究

(高い論文公表数、特許登録数)

個別化医療をささえる
がんプレジジョン医療¹⁾

¹⁾2017年CPM社を設立し事業を展開

幅広いモダリティの
開発パイプライン

(ペプチド、抗体、低分子)

がんプレジジョン医療とは

適切な人に適切なタイミングで適切な治療を提供すること



がん患者さんの
遺伝子解析

分子標的療法の
選択および開発

- 生存率の向上
- 高精度にがんを狙う
- 副作用の緩和

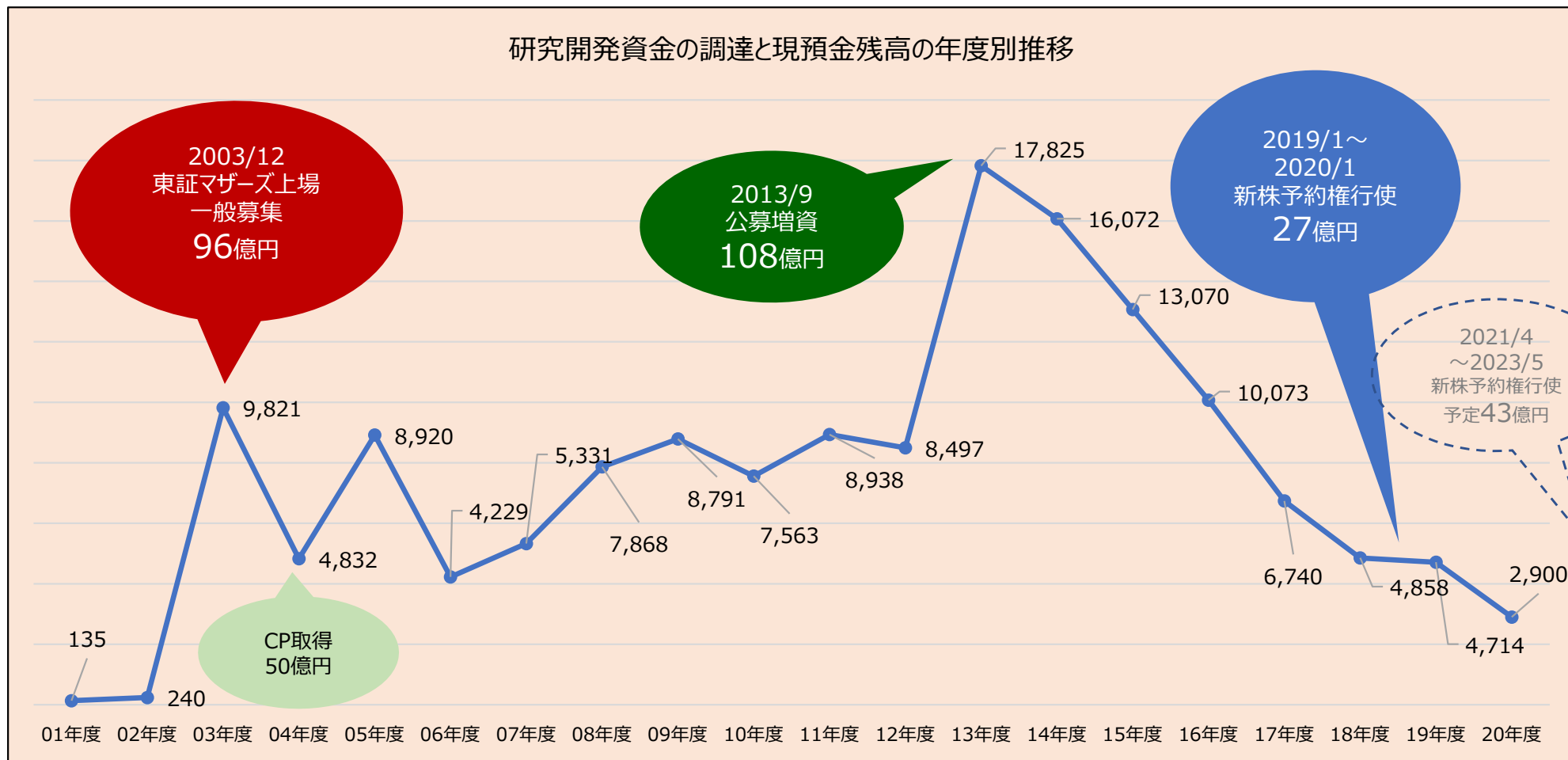
患者さんごとに最適な治療を提供できるように

2017年7月、株式会社Cancer Precision Medicine (CPM) の設立
遺伝子検査受託サービスの価値向上、新規
免疫療法の研究開発の推進

1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

資金調達状況



2021年4月に実施しております、第三者割当てによる行使価額修正条項付新株予約権の発行につきましては14ページをご参照ください。

1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

貸借対照表・財務状況

- ・資産の9割は研究開発の原資である現預金残高
- ・相対するのは剰余金等の純資産

<前期比増減トピックス>

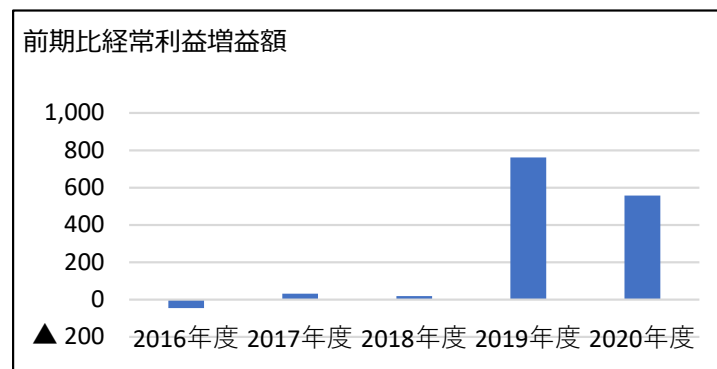
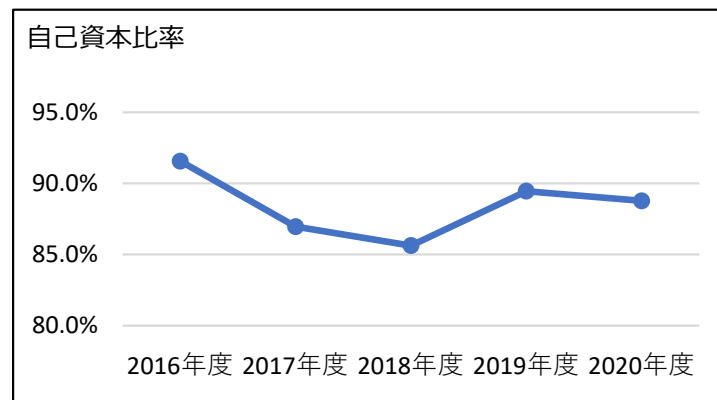
減資による減少

当期損失による減少

当期損失+減資振替

連結貸借対照表 (2021年3月期)

	資産	負債・純資産
合計 3,368百万円		負債, 291
		資本金, 50 (前期比▲1,370)
	現預金, 2,899 (前期比▲1,815)	その他純資産, 3,027 (前期比▲281)
		・資本剰余金 24,054
		・利益剰余金 ▲21,114
	その他流動資産, 295	
	固定資産, 174	



1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

第三者割当てによる行使価額修正条項付新株予約権の発行

割当日	新株予約権数	2021年4月28日	350,000個						
発行価額	新株予約権1個当たり35円（本新株予約権の払込総額12,250,000円）								
発行時の潜在株式数	発行時の潜在株式数 35,000,000株（本新株予約権1個当たり100株）								
調達予定額	行使期間	差引手取概算 42.9億円	行使期間2021年4月30日～2023年5月1日まで						
行使価額及び行使価額の修正条件	当初行使価額 123円 上限行使価額 なし / 下限行使価額 74円 行使価額は、本新株予約権の各行使請求の効力発生日（修正日）の直前取引日の東証の普通取引の終値の92%に相当する金額（小数点第2位に切り上げ）に修正 修正後の行使価額が下限行使価額を下回る場合には、下限行使価額を行使価額とする								
募集又は割当方法	第三者割当ての方式による（割当先は大和証券株式会社）								
資金の具体的な使途	合計42.9億円（下記単位：億円） <table><tr><td>①創薬医薬研究領域における研究開発費</td><td>15.5</td></tr><tr><td>②医薬開発領域における研究開発費</td><td>25.0</td></tr><tr><td>③がんプレジジョン医療関連事業における経費及び研究開発費</td><td>2.4</td></tr></table> <p>※現時点において上記資金使途に変更は生じておりません</p>			①創薬医薬研究領域における研究開発費	15.5	②医薬開発領域における研究開発費	25.0	③がんプレジジョン医療関連事業における経費及び研究開発費	2.4
①創薬医薬研究領域における研究開発費	15.5								
②医薬開発領域における研究開発費	25.0								
③がんプレジジョン医療関連事業における経費及び研究開発費	2.4								

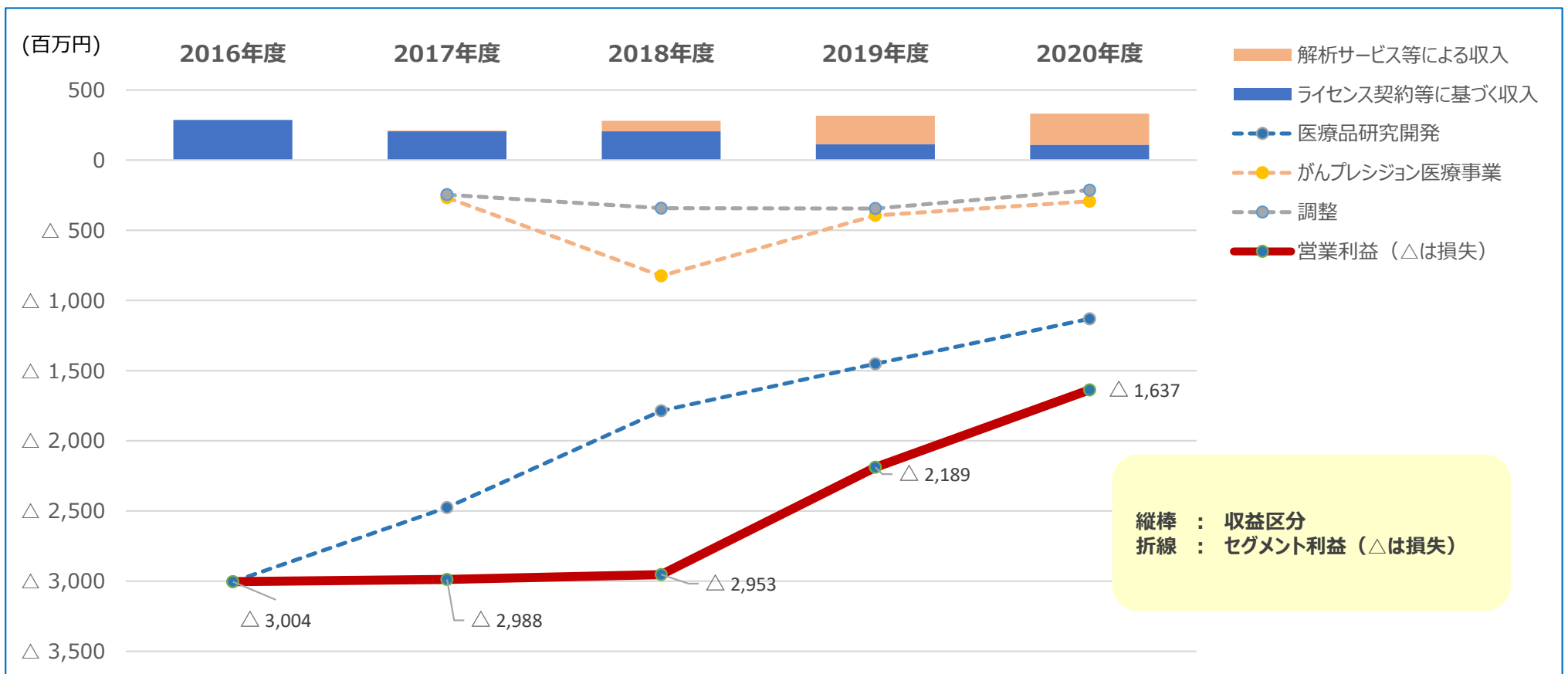
1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

収益の分解とセグメント情報

収益区分	2016年度（第16期）				2017年度（第17期）				2018年度（第18期）				2019年度（第19期）				2020年度（第20期）			
	「医薬品の研究及び開発」並びにこれらに関連する事業			合計	「医薬品の研究及び開発」並びにこれらに関連する事業	がんプレジジョン医療関連事業合計	調整額 全社費用	合計	「医薬品の研究及び開発」並びにこれらに関連する事業	がんプレジジョン医療関連事業合計	調整額 全社費用	合計	「医薬品の研究及び開発」並びにこれらに関連する事業	がんプレジジョン医療関連事業合計	調整額 全社費用	合計	「医薬品の研究及び開発」並びにこれらに関連する事業	がんプレジジョン医療関連事業合計	調整額 全社費用	合計
顧客との契約から生じる収益	287	-	-	286	206	6	-	211	205	76	-	280	114	202	-	316	111	221	-	332
ライセンス契約等に基づく収入*	287	-	-	286	206	-	-	205	205	-	-	205	114	-	-	114	111	-	-	110
解析サービス等による収入	-	-	-	0	-	6	-	5	-	76	-	75	-	202	-	202	-	221	-	221
セグメント利益（△は損失）	△ 3,004	-	-	△ 3,004	△ 2,475	△ 268	△ 246	△ 2,988	△ 1,786	△ 824	△ 343	△ 2,953	△ 1,451	△ 394	△ 345	△ 2,189	△ 1,131	△ 293	△ 214	△ 1,637

(*)医薬品等の研究開発、製造、販売、技術の使用を第三者に認めたライセンス収入（契約一時金、マイルストーンに係る収入及びロイヤリティ収入）



1. 会社概要

(5) 前期・当期ハイライト

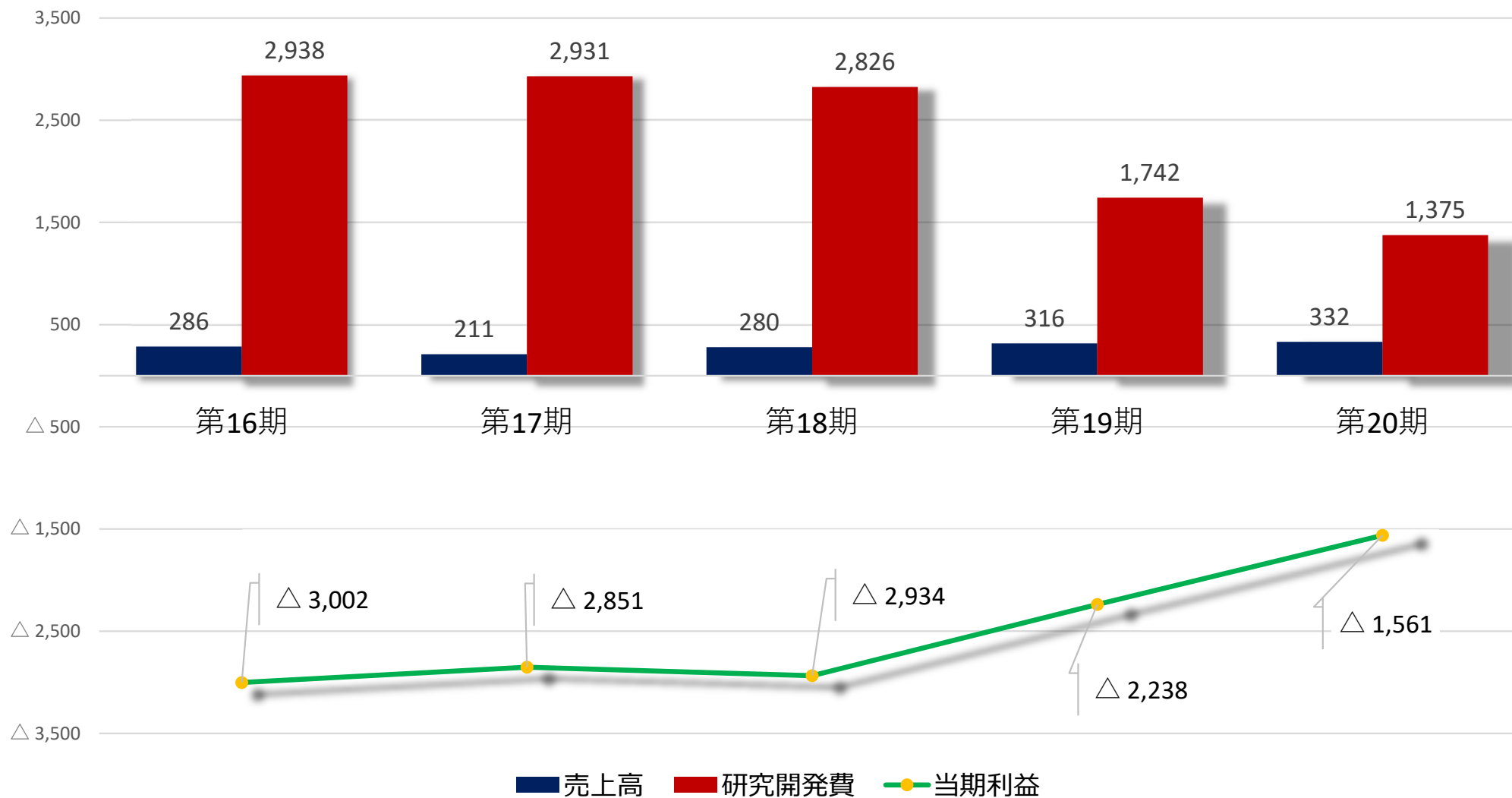
2020年	10月	<ul style="list-style-type: none">➤ COVID-19に対するペプチドワクチン研究開発着手➤ 子会社CPMでCOVID-19病原体PCR検査受託開始
	12月	<ul style="list-style-type: none">➤ 子宮頸がんおよび卵巣がんに対するペプチドワクチン第Ⅱ相臨床試験(医師主導治験)に関する論文公表➤ MELK阻害剤「OTS167」乳がんに対する第Ⅰ相試験治験実施施設追加
2021年	2月	<ul style="list-style-type: none">➤ 膀胱がん患者を対象とした S-588410 第Ⅱ相臨床試験結果学会発表
	3月	<ul style="list-style-type: none">➤ 胆道がんに対するペプチドワクチン OCV-C01 第Ⅱ相医師主導治験に関する論文公表➤ OTS167 および FLT3 阻害剤の急性骨髄性白血病に及ぼす相乗効果に関する非臨床論文公表➤ 子会社CPMで新型コロナウイルス変異株の検査導入
	4月	<ul style="list-style-type: none">➤ がん特異的ペプチドワクチンS-588410 第Ⅲ相臨床試験進捗に伴うマイルストーン受領➤ 第三者割当てによる行使価額修正条項付新株予約権の発行
	7月	<ul style="list-style-type: none">➤ 食道がんに対するがん特異的ペプチドワクチン S-588410 第Ⅲ相臨床試験完了
	8月	<ul style="list-style-type: none">➤ 子会社CPMでのネオアンチゲン解析に関連する論文公表
	9月	<ul style="list-style-type: none">➤ 子会社CPMでの国立研究開発法人国立成育医療研究センターとの共同研究契約締結
	10月	<ul style="list-style-type: none">➤ 子宮頸がんに対するOTSA101の研究結果の学会発表➤ 子会社CPMでの全ゲノムシーケンス解析業務の大口受注に関するお知らせ
	11月	<ul style="list-style-type: none">➤ 急性骨髄性白血病に対するOTS167第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験患者登録終了

1. 会社概要

(6) 前期ハイライト

直近5期の連結業績推移

(百万円)



2. パイプライン

(1) 概要

治験薬	種類/ 作用機序	対象疾患	開発ステージ				開発国/ 地域	導出先 etc.
			非臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
S-588410	がんワクチン	食道がん	P3終了				日本	塩野義製薬株式会社
S-588410	がんワクチン	膀胱がん	P2終了				日本/欧州	塩野義製薬株式会社
S-488210	がんワクチン	頭頸部がん	P1終了				欧州	塩野義製薬株式会社
S-588210	がんワクチン	固形がん					英国	塩野義製薬株式会社
OTSGC-A24	がんワクチン	胃がん					シンガポール/韓国	医師主導治験
OTSA101	FZD10抗体 (⁹⁰ Y標識)	滑膜肉腫					日本	
KHK6640	Aβ抗体	アルツハイマー型 認知症					欧州/日本	協和キリン株式会社
OTS167	低分子 MELK阻害剤	白血病					米国	
OTS167	低分子 MELK阻害剤	乳がん					米国/日本	
OTS964等	低分子 TOPK阻害剤	—					—	

注：創薬研究領域では、複数のがん特異的蛋白質を標的とする低分子化合物の新規化合物合成と構造活性相関研究を進行中

2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTS167

MELK阻害剤 OTS167

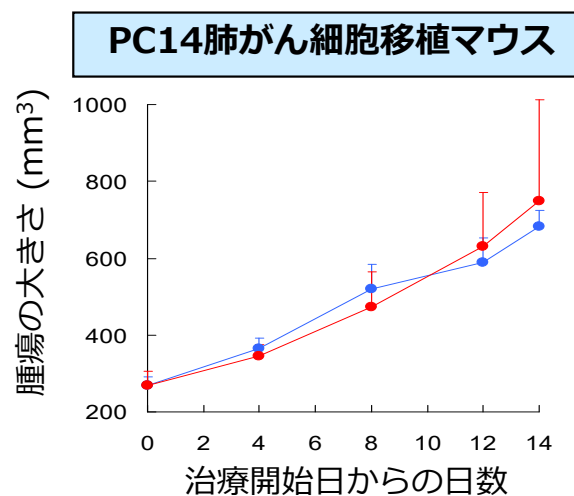
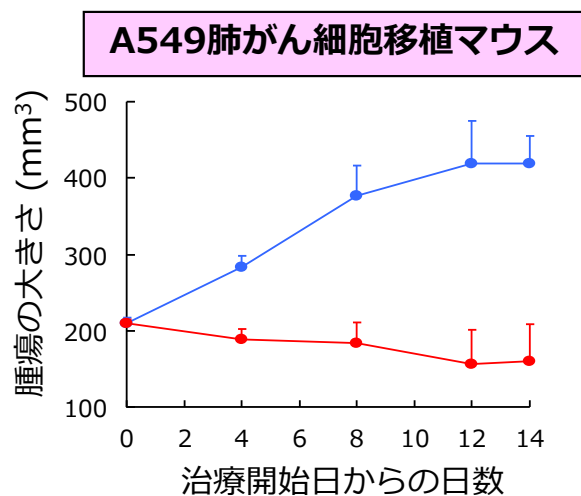
- MELK (Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase) は、多くのがんで高頻度の高発現している
- 精巣以外の正常組織では低発現している
- がん細胞及びがん幹細胞の増殖・生存に重要である
- MELK阻害剤OTS167は、ヒトがん細胞移植モデル (マウス) でMELK特異的かつ強い抗腫瘍効果を認めている

MELKに対して高い阻害活性

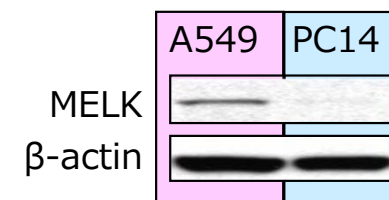
OTS167 IC₅₀ = 1.1 nM

*IC₅₀; 半数阻害濃度。低い値を示す程阻害剤としての効果が高いとされる。

MELK特異的な抗腫瘍効果



- コントロール (対照群)
- OTS167 10 mg/kg 経口1回/1日



2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTS167

OTS167 血液がんに対する第 I / II 相臨床試験

(2016年8月～、Clinical Trials登録ID : NCT02795520)

- 静脈内反復投与での安全性、最大耐量確認が主目的

ステージ	第 I / II 相 (患者登録終了)
対象疾患	治療不応・再発白血病 (急性骨髄性白血病、急性リンパ性白血病、慢性骨髄性白血病、骨髄異形成症候群、骨髄増殖性腫瘍)
投与経路	静脈内
治験実施施設	シカゴ大学、コーネル大学 (アメリカ)

全世界の新規白血病患者：約48万人 (2020年)、国内では年間約1万5千人が新たに診断される予想 (2020-2024年)

治療法：薬物療法 (化学療法、分子標的治療など)、造血幹細胞移植

出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin. 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」

OTS167 乳がんに対する第 I 相臨床試験

(2017年5月～、Clinical Trials登録ID : NCT02926690)

- 経口投与での安全性・忍容性確認が主目的
- カプセル剤 (経口) として、より早く治験結果が得られるように進めていく

ステージ	第 I 相
対象疾患	治療不応・再発乳がん (トリプルネガティブ乳がん ^(※) 含む)
投与経路	経口 (カプセル)
治験実施施設	アメリカ：MDアンダーソンがんセンター、ノーウォーク・ホスピタル、 メモリアルスローンケタリングがんセンター 日本国内の治験実施施設を追加

(※) トリプルネガティブ乳がん：エストロゲン受容体・プロゲステロン受容体・HER2 の3つが発現していない乳がんのこと。乳がんの約15～20%に相当する。

全世界の新規乳がん患者：約226万人 (2020年)、女性のがんでは1位 (最多割合) として、全がん死亡の1/6に該当

治療法：外科療法、放射線療法、薬物療法 (化学療法、ホルモン療法など)

出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin. 日本乳癌学会 乳癌診療ガイドライン

2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTS167

OTS167の市場性

白血病罹患患者数：年間 約48万人（世界）、約1万5千人（国内）

乳がん罹患患者数：年間 約226万人（世界）、約9万5千人（国内）

出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin. 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計（2018年）」

白血病や乳がんでは既存薬品が多数あり売上高の予想は難しいが、大型医薬品となる可能性があると考え開発中

参考）キナーゼ阻害剤としてがん領域の大型医薬品

製品名	一般名	主な適応疾患	販売会社	2020年売上*1 (100万USD)	メカニズム
Imbruvica	Ibrutinib	B細胞性腫瘍	AbbVie/J&J	9,442	ブルトン型チロシンキナーゼ阻害薬
Ibrance	Palbociclib	乳がん (HR+)	Pfizer	5,392	サイクリン依存性キナーゼ CDK4/CDK6 阻害薬
Tagrisso	Osimertinib	非小細胞肺癌	AstraZeneca	4,328	EGFRチロシンキナーゼ 阻害薬
Sprycel	Dasatinib	血液がん (CML, ALL)	BMS	2,140	チロシンキナーゼ阻害薬
Tasigna	Nilotinib	慢性骨髄性白血病	Novartis	1,958	チロシンキナーゼ阻害薬
Lenvima	Lenvatinib	甲状腺癌 etc.	Eisai/Merck	1,863	マルチキナーゼ阻害薬
Alecensa	Alectinib	非小細胞肺癌	Roche	1,292	ALKチロシンキナーゼ阻害薬
Gleevec	Imatinib	慢性骨髄性白血病, GIST	Novartis	1,188	チロシンキナーゼ阻害薬
Afinitor	Everolimus	腎細胞がん、乳がん	Novartis	1,083	セリン・スレオニンキナーゼmTOR阻害薬

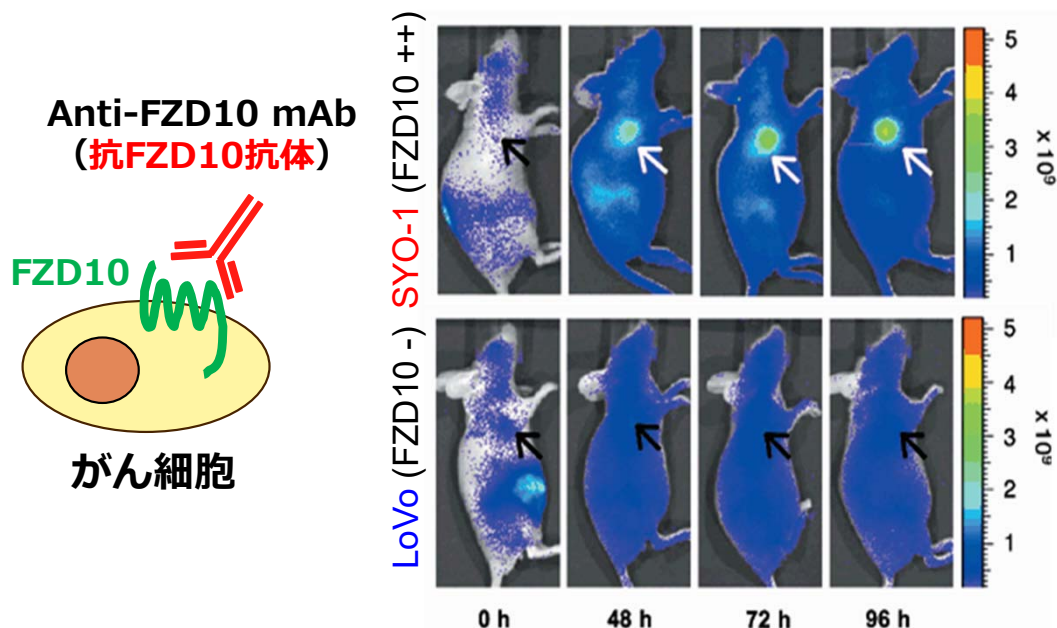
*1 2020年 Oncology Global Sales, PharmaComapss資料より

2. パイプライン

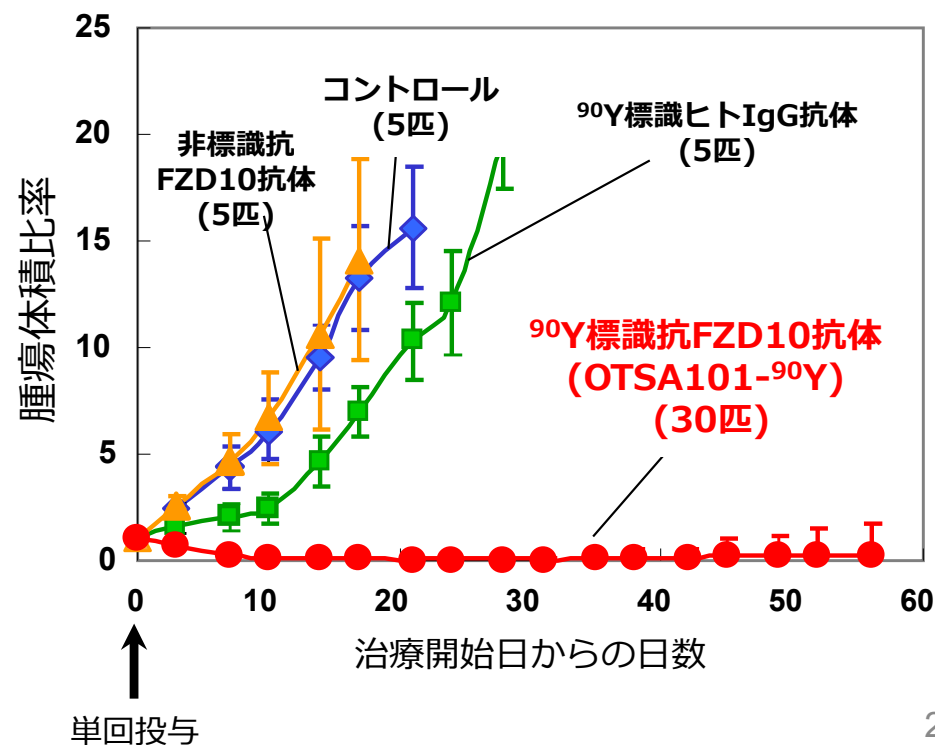
(2) パイプライン詳細 OTSA101

抗FZD10抗体 OTSA101

- FZD10 (Frizzled Homolog 10) は滑膜肉腫に特異的かつ高頻度の高発現して、細胞膜に発現している
- 胎盤以外の正常臓器では発現していない
- FZD10をターゲットとした抗体 (抗FZD10抗体) は、生体内でFZD10 陽性滑膜肉腫へ特異的に集積する
- 放射性核種である ^{90}Y を結合させたOTSA101 (OTSA101- ^{90}Y) は、滑膜肉腫細胞移植マウスに対して強い抗腫瘍効果を示す



ヒト滑膜肉腫細胞(SYO-1)を移植したマウス



2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTSA101

OTSA101 滑膜肉腫に対する第 I 相臨床試験

(2020年1月～、Clinical Trials登録ID : NCT04176016)

- 放射線同位元素を結合したOTSA101投与における安全性及び体内薬物動態の確認が主目的

ステージ	第 I 相
対象疾患	難治性または再発性滑膜肉腫
投与経路	静脈内
治験実施国	日本 フランスにおいて医師主導による第I相臨床試験を実施し、OTSA101 投与による安全性と体内集積について良好な結果を確認しております。なお、OTSA101 は米国食品医薬品局（FDA）より、軟部肉腫に対するオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）に指定されております。

- 希少疾病用医薬品として、優先審査（日米欧）を目指す
- 他のがん種の追加適応を検討する

滑膜肉腫は皮下組織や筋肉などの軟部組織から発生する、発症頻度は少ない「希少がん」の一つ

新規滑膜肉腫患者：人口100万人あたり1～3例の発生で、年間アメリカでは800人、国内では200人程度の発生が予想

治療法：外科療法、放射線療法、薬物療法（化学療法）

出典：（米）セントジュード小児研究病院／国立がん研究センター 希少がんセンター

2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTSA101

OTSA101の市場性

	罹患率 (軟部肉腫)	人口 (百万人)	滑膜肉腫 罹患患者数 ⁴⁾ (人)
日本	10万人あたり 3人 ¹⁾	126	227
EU	10万人あたり 4~5人 ²⁾	747	2,241
US	10万人あたり 4人 ³⁾	333	799
合計			3,267

市場規模は希少疾病用医薬品であり売上高の予想は難しいが、いまだ有効な治療方法がない滑膜肉腫に対するアンメット・メディカル・ニーズ⁵⁾への対応が可能になる

【今後期待される事業展開】

- 開発・承認・販売を推進するライセンス先の獲得
- グローバル展開：複数地域での開発・承認・発売
- 他のがん種への適応拡大

1)国立がん研究センター希少がんセンター

2)欧州臨床腫瘍学会 (ESMO)

3)The American Cancer Society

4)人口 (2020年) x 罹患率と、軟腫瘍登録者数のうち滑膜肉腫の比率を6%^{1~3)}で計算

5)まだ満たされていない医療上の必要性で、患者から強く求められている疾患に対する新たな医療の要求

2. パイプライン

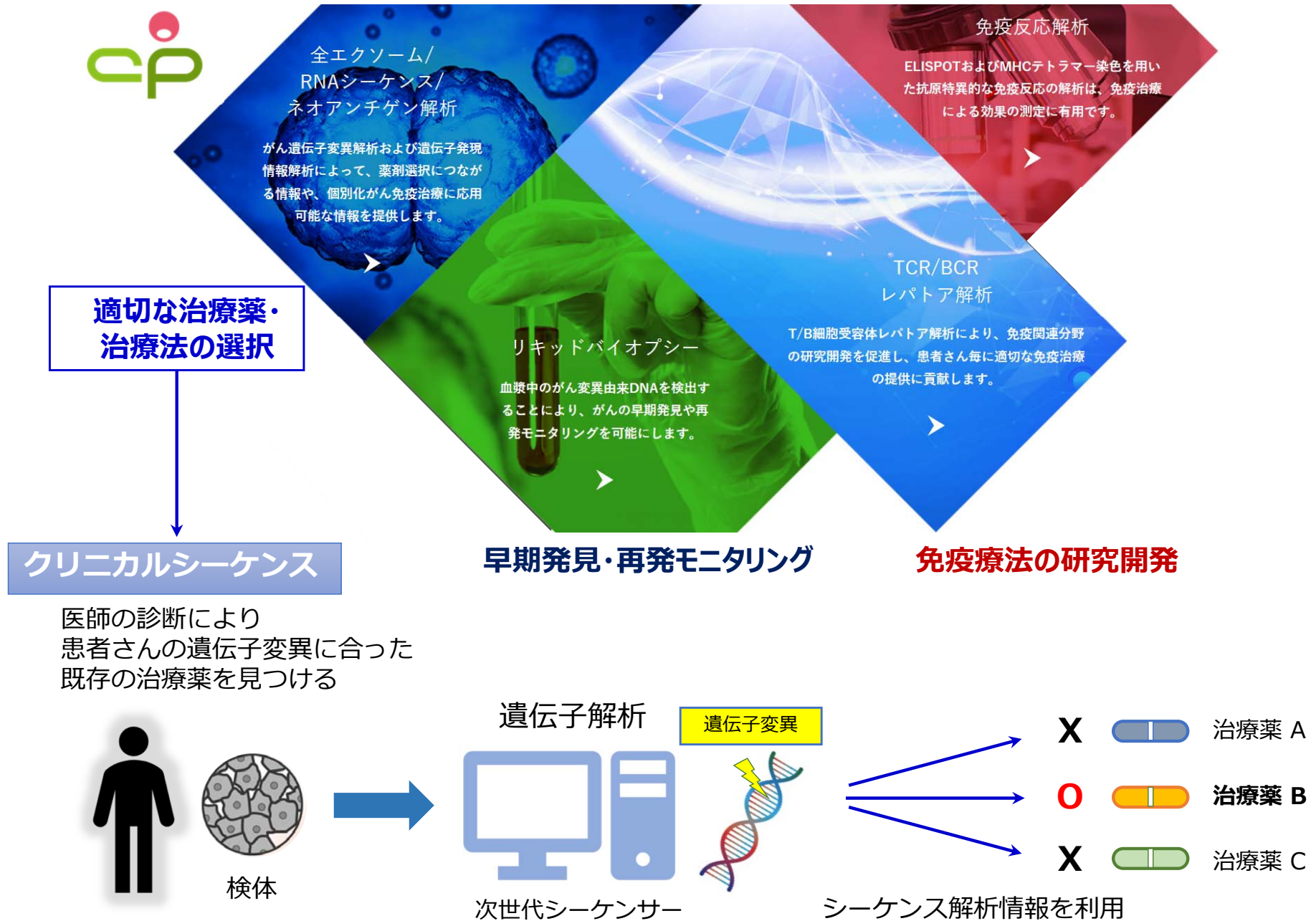
(2) パイプライン詳細 がんペプチドワクチン

治験薬	種類/ 作用機序	対象疾患	開発ステージ				開発国/ 地域	導出先 etc.
			非臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
S-588410	がんワクチン	食道がん	P3終了				日本	塩野義製薬株式会社
S-588410	がんワクチン	膀胱がん	P2終了				日本/欧州	塩野義製薬株式会社
S-488210	がんワクチン	頭頸部がん	P1終了				欧州	塩野義製薬株式会社
S-588210	がんワクチン	固形がん					英国	塩野義製薬株式会社
OTSGC-A24	がんワクチン	胃がん					シンガポール/韓国	医師主導治験

- 提携先製薬企業との戦略的対話を促進し、提携先が実施する臨床開発の側面支援、後方支援を強化して参ります。
- S-588410食道がん第Ⅲ相臨床試験：主要評価項目である無再発生存期間（RFS）に関して、S-588410群におけるRFS延長について統計学的な有意差は認められませんでした。一方で、食道がん発生部位別あるいはリンパ節転移グレード別の探索的な部分集団解析では、S-588410投与により一定の発生部位の患者さん集団で全生存期間（OS）が有意に延長され、またリンパ節転移が多い患者さん集団ではRFSやOSの改善が認められる傾向を確認しております。
本試験で得られた結果については更に詳細な解析を行い、今後のがんペプチドワクチン開発方針の一助にする予定であります。今後の開発計画については、契約締結先である塩野義製薬株式会社と協議を継続して参ります。
なお、塩野義製薬株式会社は、S-588410の食道がん第Ⅲ相臨床試験のほか、膀胱がんを対象としたS-588410について日欧で第Ⅱ相臨床試験を完了しており、頭頸部がんを対象としたS-488210は欧州で第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を、また、固形がんを対象としたS-588210は英国で第Ⅰ相臨床試験を、それぞれ実施しております。
- OTSGC-A24の胃がんに対する免疫チェックポイント阻害剤併用第Ⅰ相臨床試験（医師主導治験）を実施しております。

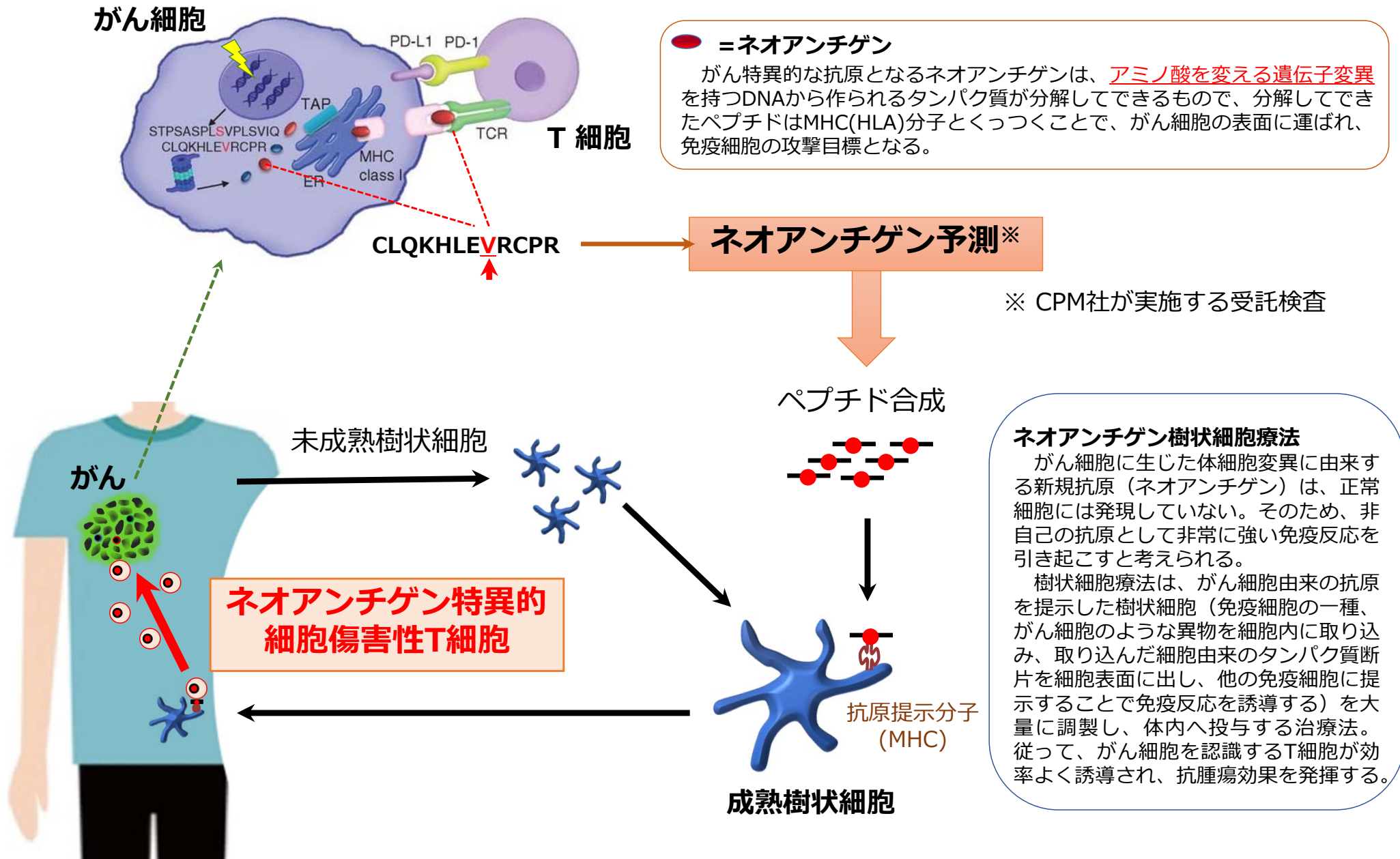
2. パイプライン

(3) その他研究開発/受託検査 CPM社のアプローチ（クリニカルシーケンス）



2. パイプライン

(3) その他研究開発/受託検査 クリニカルシーケンス (ネオアンチゲン解析)

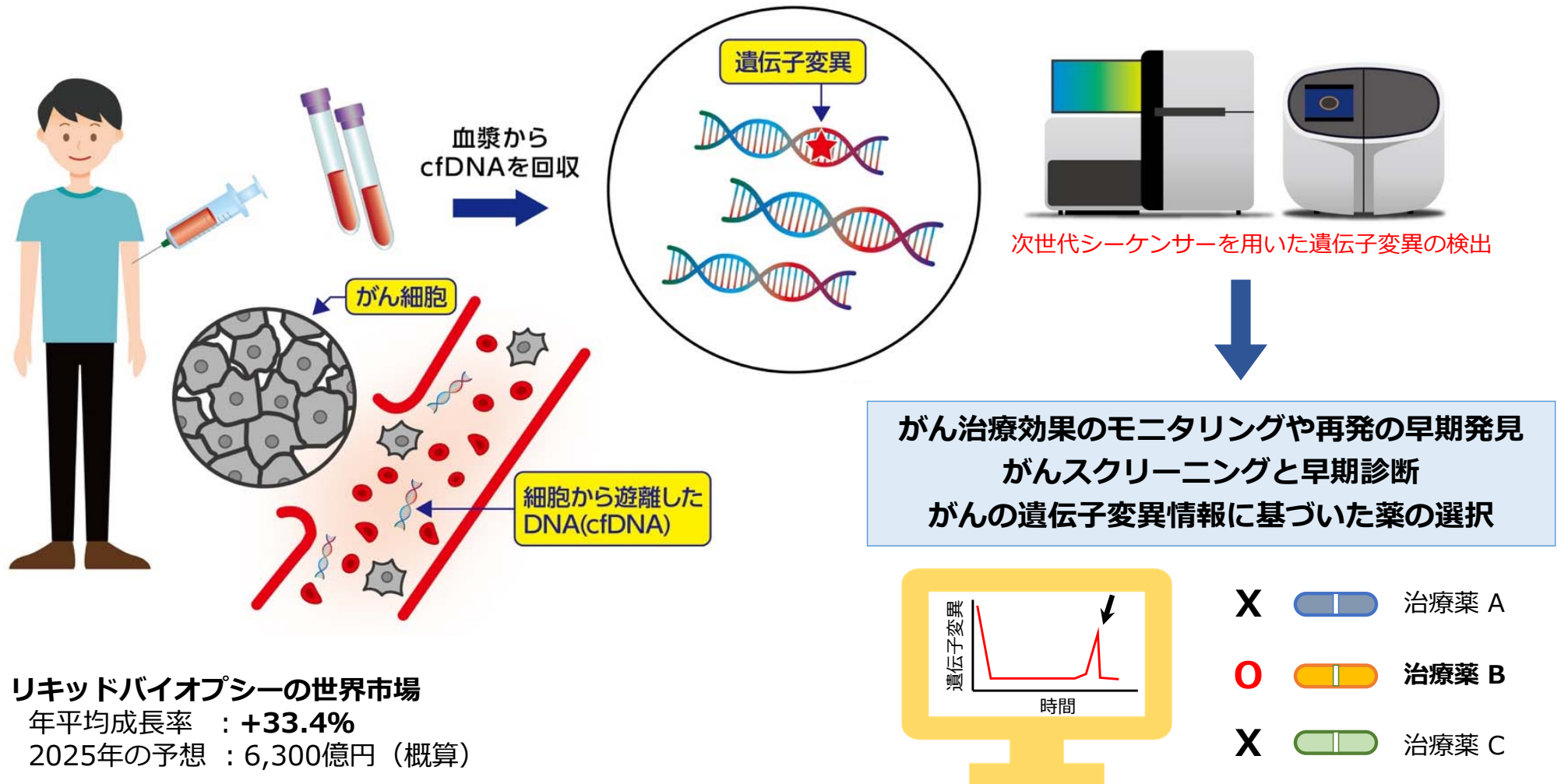


2. パイプライン

(3) その他研究開発/受託検査 リキッドバイオプシー

liquid biopsy : liquid=液体、 biopsy=生体検査

- ・従来の組織生検（部位を特定してがん組織部分を切り出す）に比べ、身体に負担の少ない採血で繰り返し測定可能。
- ・血管から採取するため、全身のどこの部位のがんでも遺伝子変異を検査可能。



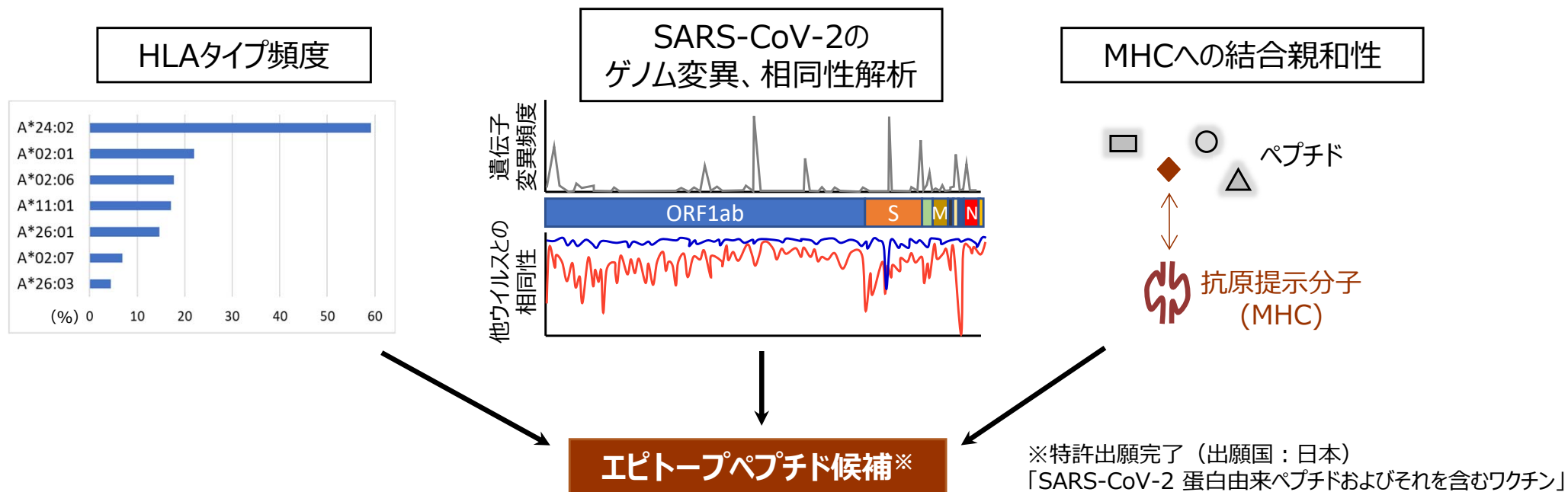
リキッドバイオプシーの世界市場

年平均成長率 : +33.4%

2025年の予想 : 6,300億円 (概算)

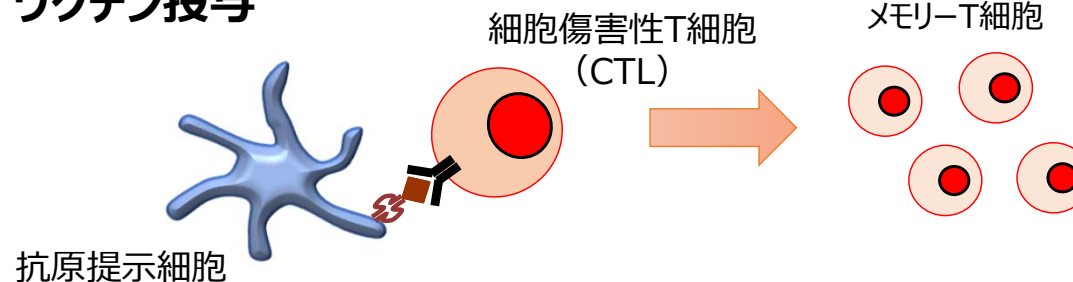
2. パイプライン

(3) その他研究開発/受託検査 COVID-19に対するペプチドワクチン研究開発



ペプチドワクチンがCTLを誘導し、CTLの一部がウイルス感染細胞を傷害する機能を維持したままメモリーT細胞として長期間体内に存在することで、新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）に感染した場合、迅速で効果的な感染制御や重症化の抑制が期待される。

ワクチン投与



【進捗状況および今後の予定】

- 特許出願：開発候補ペプチドを含む特許の出願を完了
- 事業の推進：新規次世代ペプチドワクチンとしての開発に向けた提携先の探索を継続

2. パイプライン

(3) その他研究開発/受託検査 企業・団体向けCOVID-19病原体PCR検査

経済活動の再開やイベント開催等にあたり、関係者が感染していないことを確認するための検査を定期的実施するニーズが発生



企業や団体、教育現場等での不安解消・活動環境の改善や、リスク管理の一環のために、唾液を用いたPCR検査受託を実施

※TaqMan SNP ジェノタイピングアッセイ技術により
α型(英国型)、β型(南アフリカ型)、γ型(ブラジル型)などの変異株にも対応済

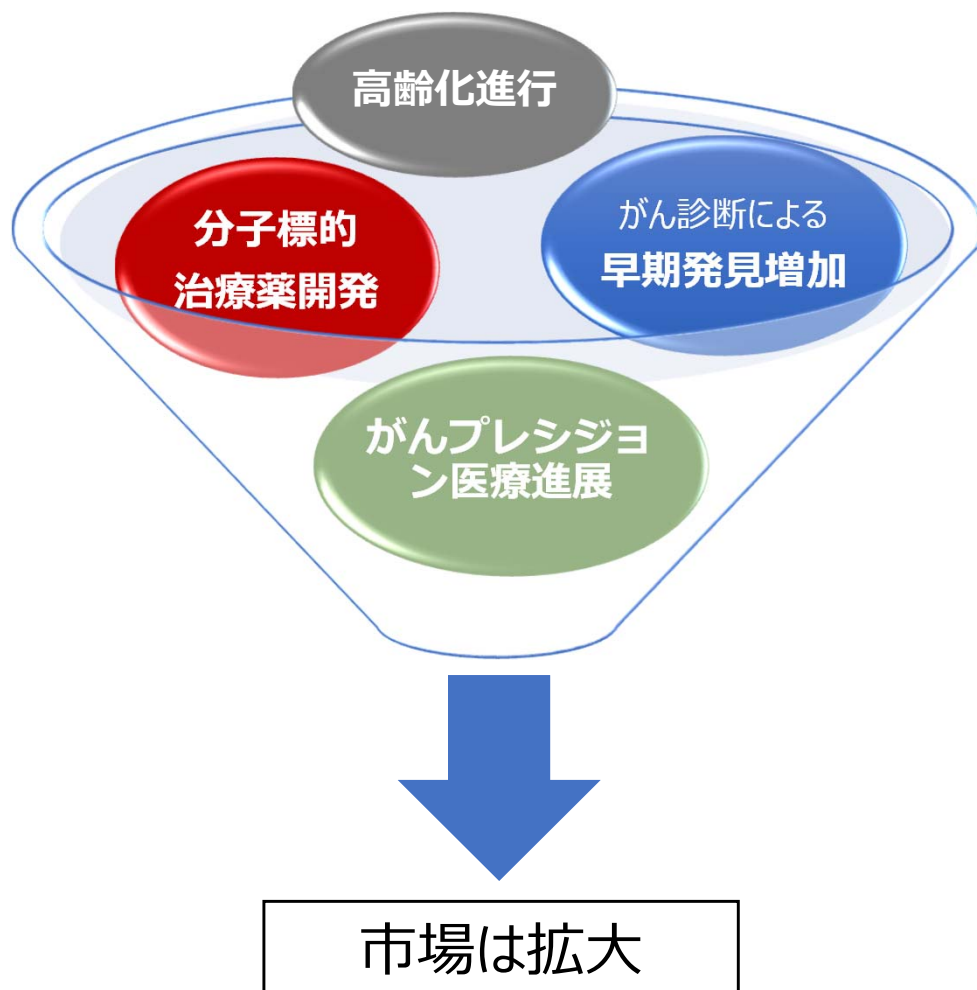
<検査方法>



日本国内で感染の急拡大が懸念されるα型(英国型)、β型(南アフリカ型)、γ型(ブラジル型)、δ型変異株(インド型)などの変異株を特定するためのPCR検査を導入

3. 達成目標/将来ビジョン

(1) 今後の方針



事業推進のスピード

- ✓ 研究成果を一日も早く臨床開発へ
- ✓ 臨床開発を加速
- ✓ がんプレシジョン医療分野の質の高い解析検査、がん免疫療法の研究開発をより早く進展

事業領域の拡大

- ✓ 低分子医薬、がんペプチドワクチン、抗体医薬はより多くの医薬品開発用途へ応用
- ✓ がんプレシジョン医療に積極的に取り組む

リスクとリターンのバランス

- ✓ 提携契約、研究開発の締結により製品化の可能性を極大化しつつリスクは経営上合理的なレベルにとどめる

設立時の理念を忘れず、画期的ながん治療薬創製へのチャレンジを継続して参ります。

3. 達成目標/将来ビジョン

(1) 今後の方針



基礎研究・創薬研究

- 自社基盤技術に基づく新規分子標的治療薬の創製に向けた活動の継続
- 外部研究機関との共同研究による自社創薬プログラムの価値向上
- 自社開発品の適応拡大に向けた共同研究の企画・推進



臨床開発

- OTS167, OTSA101：施設追加、プロトコル更新による迅速な開発の検討
- OTSGC-A24：医師主導治験支援の継続
- 開発候補品創製に向けたプロジェクトの推進



事業提携

- 自社パイプライン新規提携先の開拓
- ライセンスアウト先企業への開発および研究支援
- アカデミアとの連携による自社基盤技術およびパイプラインの価値最大化



がんプレシジョン医療

- 大規模遺伝子解析業務への参画
- 医療機関との連携によるがんプレシジョン医療浸透に向けた活動の継続
- がん免疫研究を志向した研究顧客の拡大

3. 達成目標/将来ビジョン

(1) 今後の方針 研究開発・解析業務の状況と達成目標

品目		状況と達成目標		
		2020年	2021年	2022年以降の達成目標 ³⁾
創薬 ¹⁾	OTS167	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 乳がん第 I 相試験、実施施設追加により患者さん登録の加速化 ✓ 卵巣がんへの抗腫瘍効果に関する論文公表 	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 急性骨髄性白血病第 I/II 相試験、患者登録終了 ✓ 急性骨髄性白血病に及ぼす FLT3 阻害剤との相乗効果に関する非臨床論文公表 	<ul style="list-style-type: none"> □ 経口投与での安全性・忍容性確認、開発パートナー模索と連携 □ 適応拡大・価値向上に向けた共同研究の継続
	OTSA101	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 滑膜肉腫第 I 相試験、患者さんへ投与開始 	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 価値向上に向けた共同研究 ✓ 子宮頸がんに対する研究結果の学会発表 	<ul style="list-style-type: none"> □ 静脈投与での安全性・忍容性確認、開発パートナー模索と連携 □ 希少疾病用医薬品への指定、次相試験および優先審査を目指す
	OTSGC-A24 ²⁾	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 胃がん第 I 相試験、実施施設追加により患者さん登録の加速化 	—	<ul style="list-style-type: none"> □ 免疫チェックポイント阻害剤の併用療法における安全性と有効性を評価
	新規候補	<ul style="list-style-type: none"> ✓ COVID-19に対するペプチドワクチン候補の同定 	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 新規化合物合成と構造活性相関研究を進行中 	<ul style="list-style-type: none"> □ 複数のがん特異的蛋白質を標的とする低分子化合物の同定 □ 非臨床試験の実施 □ 早期導出を視野に入れつつ開発パートナー模索と連携
解析業務	解析サービス	<ul style="list-style-type: none"> ✓ ネオアンチゲン解析、リキッドバイオプシー、TCR レパトア解析に関連する論文公表 ✓ 新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）病原体PCR検査導入 	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 全ゲノムシーケンス解析業務の大口受注 ✓ 新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）変異株の検査導入 	<ul style="list-style-type: none"> □ 大規模遺伝子解析業務への参画 □ がんプレジジョン医療浸透に向けた新規解析サービスの開発および導入 □ がん免疫研究解析サービスの顧客拡大

1) 自社開発品および自社から支援の医師主導治験

2) 医師主導治験（Clinical Trials登録ID：NCT03784040）

3) 達成目標は当社想定を示しているものであり、記載通りに進捗することを保証するものではありません

色：研究、開発、解析業務関連

3. 達成目標/将来ビジョン

(1) 今後の方針 成長戦略のシナリオ

価値・規模

- ・新規提携先の開拓活動強化
- ・新規パイプラインの追加
- ・アカデミアとの共同研究拡大
- ・人材と体制の強化

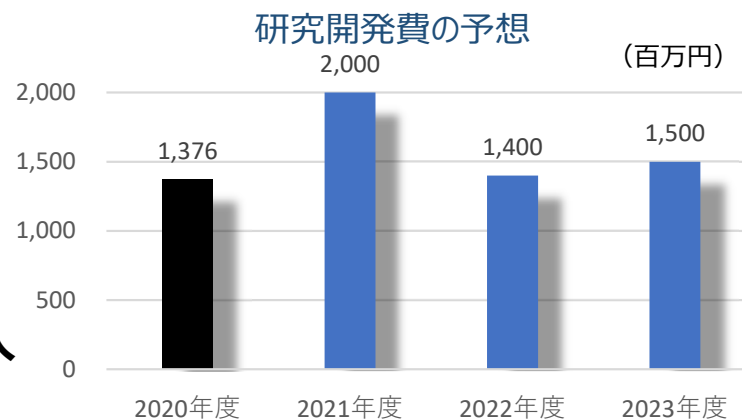
- ・事業収益の安定化
- ・財務力の安定化
- ・業務提携拡大

- ・自社起源の新薬承認・発売へ
- ・事業収益の拡大化
- ・新規技術の研究開発

- ・解析業務の大口受託と顧客拡大
- ・自社パイプライン新規提携先の開拓
- ・資金調達開始と研究開発への計画的投入

2021年

時間軸



※予想は現時点の数値であり変更する可能性があります

4. リスク情報

主要な事業リスクと対策

リスク区分	主要なリスク	リスクの内容	顕在化可能性	時期	影響度	対応策
サイエンス	研究開発の不確実性	当社の研究開発活動の基盤は中村祐輔氏の研究成果であり、創業から今後も同氏から引き続き科学面に関して協力を得ることとなっているが、何らかの理由により協力が得られなくなるリスクがある。	低	随時	大	中村祐輔氏とは科学・研究についてのコミュニケーションを継続的に行うことで、当社への協力関係の維持に努めると同時に、同氏の指導を受けた多くの研究関係者などとのネットワーク作りにも取り組む。
		当社グループは、各提携先製薬企業と共同、または当社グループ独自に複数の臨床開発を行っているが、これらの活動が計画通りに実施できる保証はなく、進捗に遅れや、期待通りの成果が得られない可能性があり、提携先と想定していたイベントの達成の遅れや達成できなかったことにより、将来期待された収益の受領の遅れや受領できないことになり、多額の研究開発コストが回収できないリスクがある。	中		大	安定的な収益基盤が構築できるまでは、事業収益の計上による収入以外に、資本市場からの資金調達を計画的に行うことでも財務体質の安定化に取り組む。また事業収益についても、事業領域の拡大戦略により、ライセンス契約等による収入、解析サービス等による収入、の性質の異なる2つの両軸とすることで、リスクの軽減化を図る。
ビジネス	収益計上資金調達	当社グループは、研究開発型の企業として多額の研究開発費が必要であり、特に、医薬品の開発期間は基礎研究から上市まで通常10年以上の長期間に及ぶため、収益に先行して研究開発費が発生する。また収益計上も、契約提携先の製薬企業等の研究開発の進捗及び医薬品開発の・販売の状況等に依存しているため、収益計上にかかなりの期間を要する、または収益が計上されない可能性があり、財務体質に大きな悪影響が生じるリスクがある。	中		大	
	提携企業	当社グループの販売先は、製薬企業、医療機関、研究機関等を対象とする限定されたものであるため、取引先当たりの事業収益の依存度が高く、契約を締結している取引先の契約解消や取引先の経営方針・状況に著しい変更等が生じた場合、業績が大きく影響を受けるリスクがある。	高	大	事業領域の拡大を行うと同時に、開発パイプラインの早期導出への取り組みと新規開発パイプラインの追加に取り組むことでリスクを分散する。	

補足資料

朴 在賢 Jae-Hyun Park

代表取締役社長 President & CEO Chief Scientific Officer

研究者/博士（医学）（東京大学大学院卒）

当社連結子会社 イムナス・ファーマ株式会社代表取締役

株式会社Cancer Precision Medicine取締役

2008.04 国立研究開発法人理化学研究所ゲノム医科学研究センター
 2010.11 コールド・スプリング・ハーバー研究所 キャンサーセンター
 2013.04 シカゴ大学医学部助教授
 2017.07 当社入社Chief Scientific Officer
 2018.06 当社取締役
 2019.12 当社代表取締役社長

鄭 秀蓮 Suyoun Chung

取締役臨床開発部長 兼 研究開発企画担当 Director

研究者/博士（生命科学）（東京大学大学院卒）

2011.04 東京大学医科学研究所ヒトゲノム解析センター
 2012.04 シカゴ大学医学部
 2014.03 国立がん研究センター研究所
 2015.04 当社入社 研究開発企画担当
 2017.05 当社執行役員臨床開発部長
 2018.06 当社取締役臨床開発部長兼研究開発企画担当

加藤 肇夫
Hatsuo Kato

取締役会長
Chairman

有識者/経営経験者

片桐 豊雅
Toyomasa Katagiri

社外取締役
External Director

研究者/博士（医学） 徳島大学教授
 当社連結子会社 イムナス・ファーマ株式会社取締役
 同 株式会社Cancer Precision Medicine取締役

藤岡 知昭
Tomoaki Fujioka

社外取締役
External Director

医師/研究者/博士（医学） 岩手医科大学名誉教授

小峰 雄一
Yuichi Komine

社外取締役
External Director

公認会計士、税理士

山根 由香
Yuka Yamane

監査役
Auditor

研究者/学識経験者
 当社連結子会社 イムナス・ファーマ株式会社監査役
 同 株式会社Cancer Precision Medicine監査役

高木 美也子
Miyako Takagi

社外監査役/独立役員
Independent
External Auditor

研究者/博士（理学）、当社独立役員 東京通信大学教授

田島 照久
Teruhisa Tajima

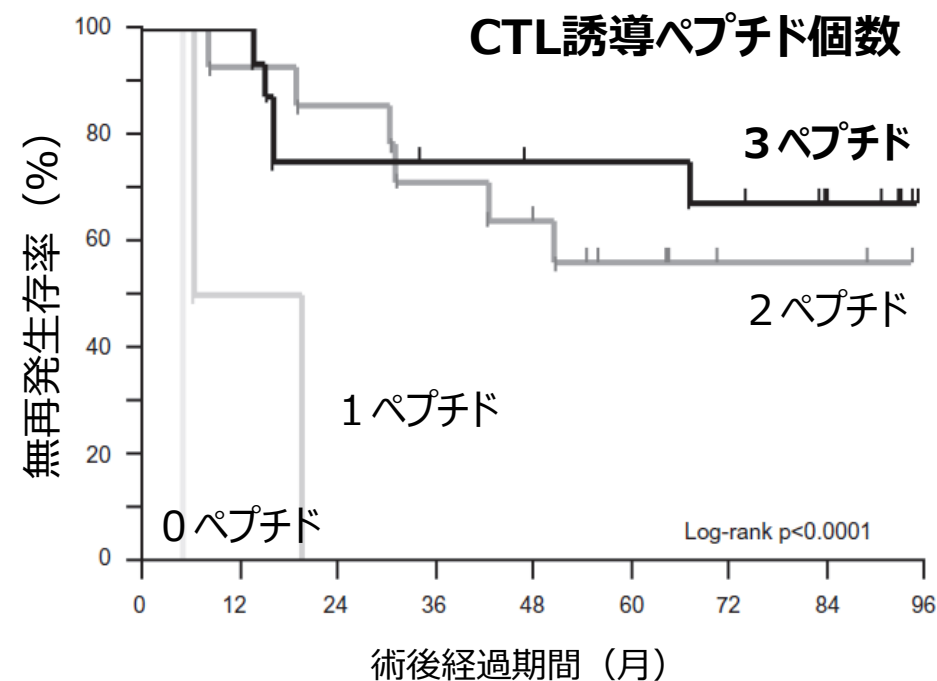
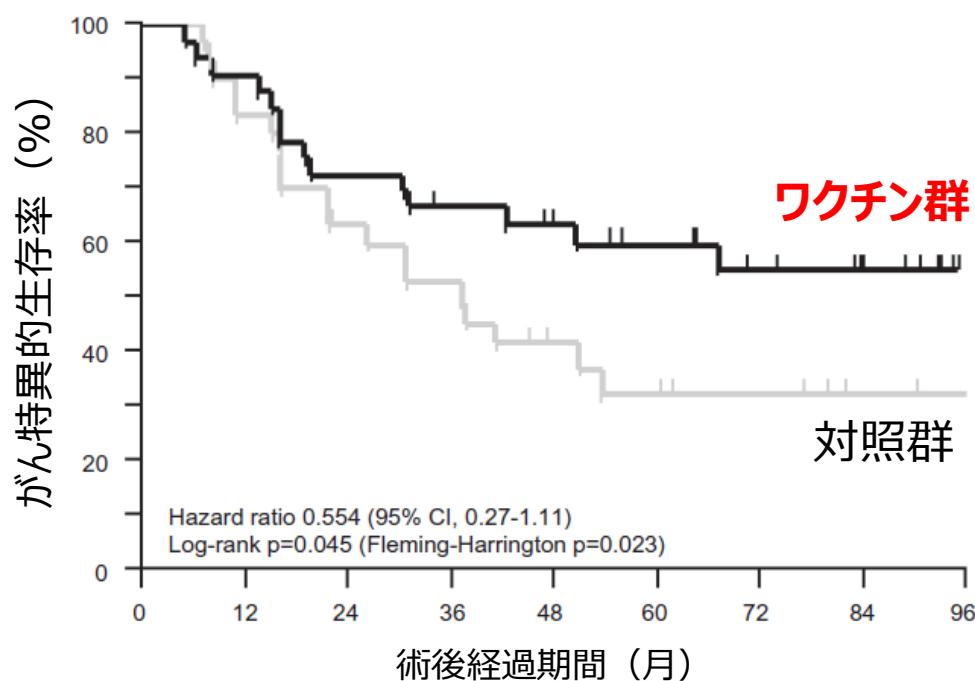
社外監査役
External Auditor

公認会計士、税理士

- 2001年4月 がん関連遺伝子及び遺伝子産物を利用したがん治療薬、がん治療法及びがん診断薬の研究開発を目的として、東京都港区芝に設立。
- 2001年5月 東京大学医科学研究所と共同研究を開始。
- 2001年11月 東京都港区白金台に本店移転。
- 2002年10月 東京都港区の本店所在地に自社の研究所を開設。
- 2003年12月 東京証券取引所マザーズ市場に上場。
- 2004年8月 抗体医薬の商業化（開発・販売）を目的として株式会社医学生物学研究所と合併にてイムナス・ファーマ株式会社を設立。
- 2005年3月 本社及び本社ラボ施設を神奈川県川崎市高津区に移転し、同所に創薬研究所を開設。
- 2006年6月 ペプチド・ワクチンの開発を目的として、連結子会社となるワクチン・サイエンス株式会社を設立。
- 2007年9月 関連会社イムナス・ファーマ株式会社の株式取得により連結子会社化。
- 2007年9月 連結子会社のワクチン・サイエンス株式会社を吸収合併。
- 2010年5月 フランスに、抗体医薬をはじめとしたがん治療薬の研究開発を目的に、連結子会社 Laboratoires OncoTherapy Science France S.A.R.L.を設立。（治験終了に伴い2019年に清算終了）
- 2017年7月 がん遺伝子の大規模解析検査ならびにがん免疫療法の研究開発を目的として、連結子会社となる株式会社Cancer Precision Medicineを設立。

研究先：近畿大学（安田 卓司 先生）

- ・手術後にリンパ節転移が確認された予後不良の食道がん患者
- ・がんペプチドワクチン（3種類のがん抗原ペプチド）の投与で、がん患者の**5年生存率を約2倍に改善**
- ・細胞障害性T細胞（CTL）を誘導したペプチドの個数により再発を抑制



出典：Yasuda et al., *Ann Surg.* 2020、近畿大学のプレスリリース（2020年8月31日）

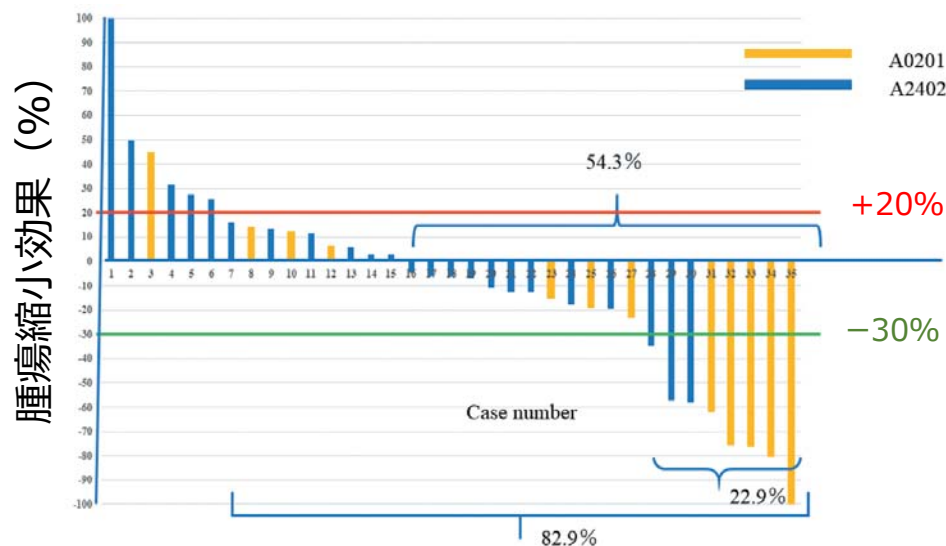
※OTS社が特許を保有するペプチドワクチンを使用した第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験）

研究先：岩手医科大学（竹内 聡 先生）

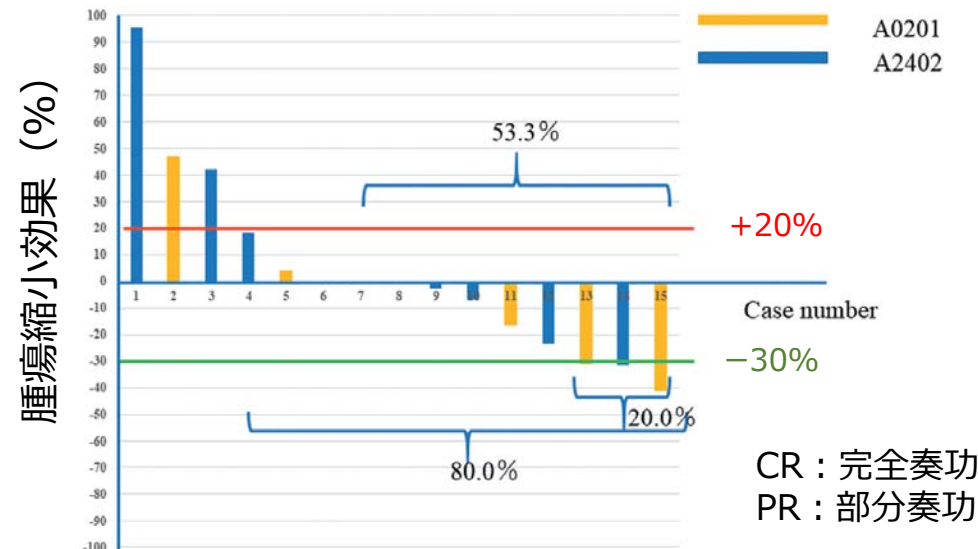
・ 2~5種類のがん抗原ペプチドワクチン療法

がん	HLA	URLC10	HIG2	FOXM1	MELK	HJURP	VEGFR1	VEGFR2
卵巣がん	24:02			○	○	○	○	○
	02:01		○				○	○
子宮頸がん	24:02			○	○	○		
	02:01	○	○					

卵巣がん（35例）のうち、CR：1例、PR：7例
奏効率：22.9%、病勢コントロール率：82.9%



子宮頸がん（15例）のうち、PR：3例
奏効率：20.0%、病勢コントロール率：80.0%



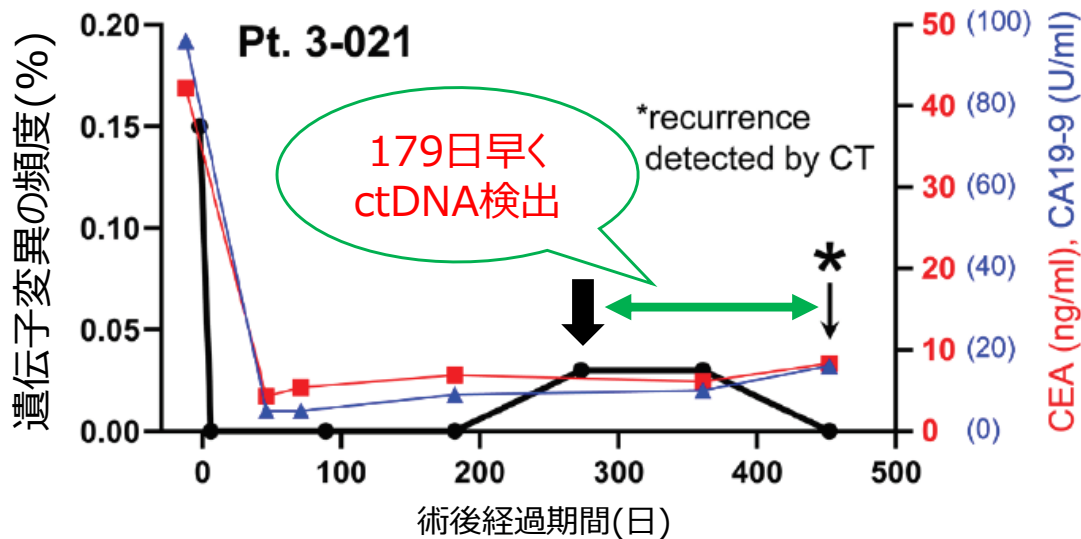
出典：Takeuchi et al., *Oncoimmunology*. 2020

※OTS社が特許を保有するペプチドワクチンを使用した第Ⅱ相臨床試験（医師主導治験）

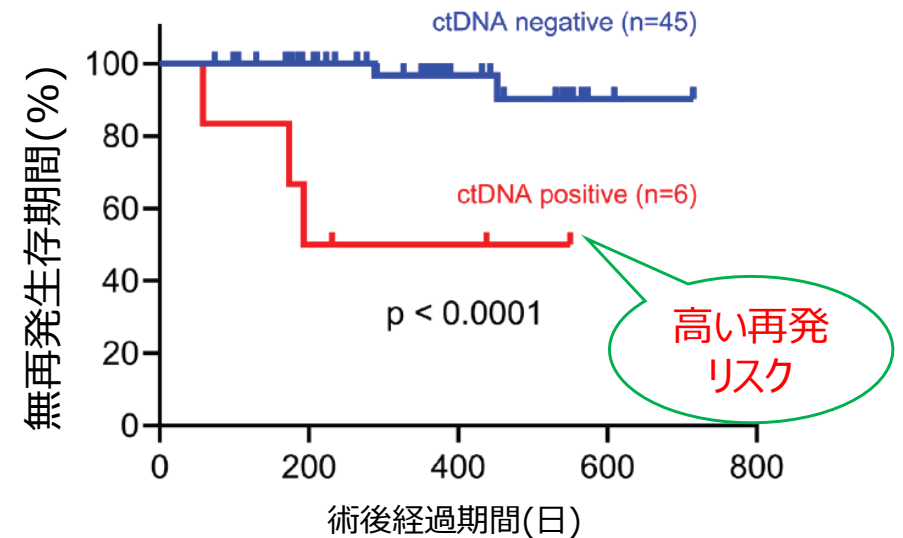
共同研究先：IMS グループ（松尾 亮太 先生）

- ・ 200例の大腸がん/胃がん患者さんの血液から遺伝子変異を検査
手術前、直後（～1週後）、3か月ずつで術後2年まで
- ・ 治療後のモニタリングや**がん再発の早期発見**が可能
- ・ 手術後の**再発リスク**が高い患者さんを予測

再発がん患者さんの例（大腸がん、ステージIII）



手術直後の血液解析



出典：Suzuki et al., *Oncotarget*. 2020

※CPM社はリキッドバイオプシーによる遺伝子変異の解析を担当

独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）、
米国食品医薬品局（FDA）、シンガポール、韓国等

当社は新薬開発を円滑に進めるため、各国の関連当局、治験実施医療機関及び関連専門家等と適時・適切なコミュニケーションを図っています。その結果、当社の治験及び開発計画の妥当性等の早期確認や、より効率的な治験実施・医薬品開発を実現しております。

また、医薬品開発等に関連する法令、関連通知及びガイドラインに沿った開発にも努めております。

専門医、各大学

当社では医薬品開発に必要な専門知識を有する国内外の専門家、医学専門医等のKOL（キー・オピニオン・リーダー）と良好な関係・連携体制を構築し、新薬開発を進めています。大学・研究機関の複数の研究者（教授等）が顧問等として兼業しており、その他臨床試験の進捗にあわせて専門医の指導が必要な場合スポットとして兼業依頼をしております。さらに、大学、研究との間で共同研究契約に基づく共同研究を実施して、当社開発医薬品等の価値向上のため努力しております。当社グループとしてはこれらの兼業を行っている者との関係においては、利益相反等の行為が発生しないように法規制等を遵守するとともに、当社グループの企業運営上取締役会の監視等を通じて十分留意しております。

経営上の重要な契約等

契約会社名	主な契約内容
東京大学医科学研究所に所属する複数の研究者	当社は譲渡の対価として、上記特許を受ける権利に係る発明を第三者に実施させ、当該第三者から収受したロイヤルティの一定割合を譲渡人に支払う。
塩野義製薬株式会社	<p>①ペプチドワクチン研究開発の継続的な発展を目的とし、当社は全疾患を対象とした適応拡大と、オンコアンチゲン由来の当社が権利を保有するペプチドワクチンを複数個含有したペプチドカクテルワクチンを有効成分とする医薬品開発・製造・販売権を塩野義製薬株式会社に独占的に許諾する。</p> <p>②塩野義製薬株式会社は、当社に対し、一定額の一時金を支払い、また一定の条件を満たす場合、それぞれ一定額のマイルストーンを支払う。</p> <p>③当社は塩野義製薬株式会社の開発の協力要請に合意した場合には、科学的見地からの専門的助言や説明、その他の協力や支援をする。</p> <p>④塩野義製薬株式会社は、当社に対し、治療薬の正味販売高に応じて、当該治療薬の上市後特定の条件を満たす期間、一定率のロイヤルティを支払う。</p> <p>⑤より有効なペプチドワクチンの探索研究を共同で行う。</p> <p>⑥当社はS-588410の食道がんに対する第Ⅲ相臨床試験費用の一部を負担する。</p>
塩野義製薬株式会社	<p>①当社と塩野義製薬株式会社は、ペプチドワクチンの迅速かつ確実な創薬化をめざし、より有効なペプチドワクチンの探索研究を共同で行う。</p> <p>②塩野義製薬株式会社は、当社に対し、研究経費を支払う。</p>
協和キリン株式会社	<p>①イムナス・ファーマ株式会社は、アルツハイマー型認知症に対する治療薬として期待される2つの抗アミロイドβペプチド抗体に関して全世界における研究、開発、使用、製造、輸出入、流通及び販売を行うための独占的実施権を協和キリン株式会社に供与する。</p> <p>②協和キリン株式会社は、契約締結に伴う一時金、マイルストーン及び上市後のロイヤルティをイムナス・ファーマ株式会社に支払う。</p>
公益財団法人がん研究会	固形がん（肺がん、大腸がん、乳がんなど）の診断を目的として、特定遺伝子における突然変異のリキッドバイオプシー技術・改良、新規技術（新規遺伝子パネル含む）の研究開発を共同で実施し、それらの臨床応用可能性を探求する。

※上記以外の契約等については、有価証券報告書の「経営上の重要な契約等」をご参照ください。

本資料は、投資者に対する情報提供を目的として記載したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。本資料発表日現在の将来に関する前提、見通し、計画に基づく予測が含まれております。これらは現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、今後の経済情勢、市場の変動等に関わるリスクや不確定要因により、実際の業績は予測と大きく異なる可能性があります。

当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。

次回の本開示は、通期決算発表後(2022年6月)を予定しています。