

A large, detailed 3D rendering of a virus particle, likely a coronavirus, is shown in a glowing blue and cyan color. It has a spherical shape covered in small protrusions and several larger, distinct spikes extending from its surface. The background is dark with faint, glowing blue and purple patterns that suggest a complex biological or molecular structure.

Powering Future Oncotherapy

— Oncolys BioPharma

事業計画及び成長可能性に関する事項

オンコリスバイオフーマ株式会社

2022年3月25日

本資料は、オンコリスバイオフーマ株式会社（以下、当社という）を御理解頂くために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。

本資料に掲載されている将来の見通し、その他今後の予測・戦略などに関する情報は、本資料の作成時点において、当社が合理的に入手可能な情報に基づき、通常予測し得る範囲で判断したものであり、多分に不確定な要素を含んでおります。実際の業績等は様々な要因の変化等により、本資料記載の見通しとは異なる結果を生じる可能性があります。

将来の展望に関する表明は、様々なリスクや不確かさを内在しています。

本資料は、投資家の皆様がいかなる目的に利用される場合においても、ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものです。

次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は2023年3月を予定しています。

1. 会社概要


2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : テロメライシン (suratadenoturev)
- ② OBP-2011 : 経口コロナ治療薬
- ③ OBP-601 : censavudine
- ④ OBP-702 : 次世代テロメライシン
- ⑤ OBP-401 : テロメスキャン

3. 今後の見通し

4. リスク情報

会社概要

会社名	オンコリスバイオフार्マ株式会社
所在地	東京都港区虎ノ門4-1-28
設立	2004年3月18日
取引市場	4588 (2013年12月6日上場) 
代表	代表取締役 浦田 泰生
支店	神戸リサーチラボ



東京本社



神戸リサーチラボ

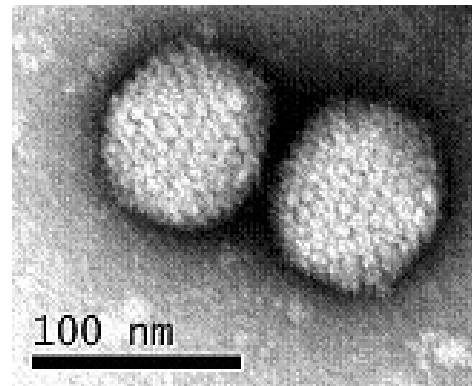


Oncolys USA Inc.
(New Jersey)

年月	沿革
2004年3月	東京都港区にオンコリスバイオフार्マ株式会社を設立
2006年6月	Yale大学とOBP-601の全世界ライセンス導入契約を締結 事業領域を重症感染症領域に拡大
2007年11月	神戸研究センター（現 神戸リサーチラボ）を開設
2009年10月	アステラス製薬とOBP-801の全世界ライセンス導入契約を締結
2013年12月	東京証券取引所マザーズ市場に上場
2016年9月	米国子会社Oncolys USA Inc.を設立
2019年4月	厚生労働省の定める「先駆け審査制度」の対象品目にテロメライシンが指定
2020年6月	米国FDAがテロメライシンを食道がんに対する「オーファンドラッグ」に指定
2020年6月	米Transposon Therapeutics, Inc.と、OBP-601の全世界独占的ライセンス導出契約を締結
2020年6月	鹿児島大学と新型コロナウイルス感染症治療薬の全世界ライセンス導入契約を締結
2020年11月	米Transposon Therapeutics, IncがOBP-601に関する第1回マイルストーンを達成
2020年12月	朝日インテック株式会社と資本業務提携契約を締結

“Powering Future Oncotherapy”

未来のがん治療にパワーを！

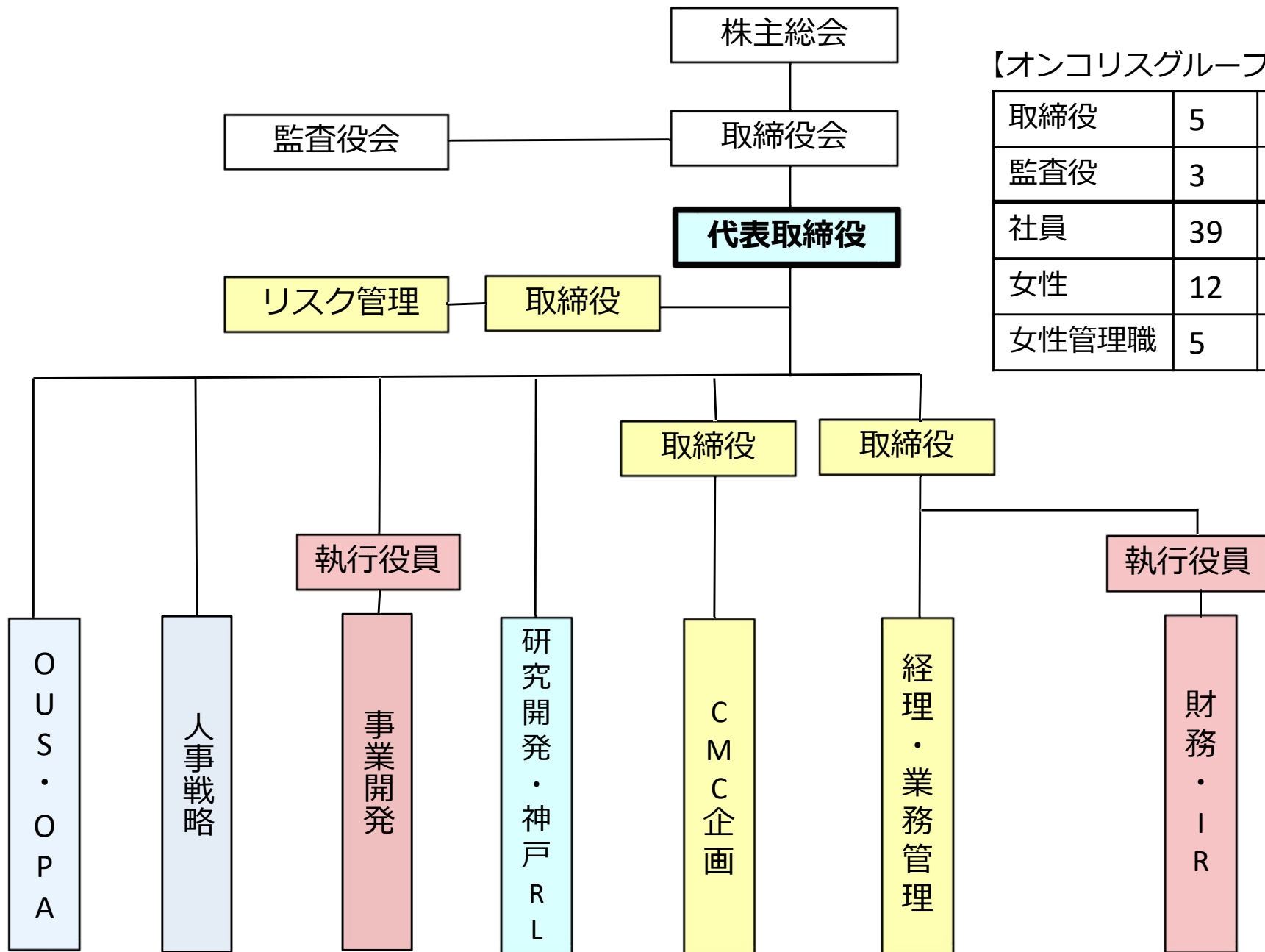


“がん治療の歴史に私たちの足跡を残したい”



浦田 泰生
1955年10月26日生

- 1974年 東海高等学校卒業（第26回）
- 1983年 京都薬科大学大学院薬学研究科修士課程修了
- 1983年 小野薬品工業（株）臨床開発部入社
主に循環器・中枢神経領域の臨床プロジェクトリーダーを担当
- 1994年 日本たばこ産業（株）医薬総合研究所入社
- 1996年 社長表彰（新規抗HIV薬**Viracept**の世界での商品化に成功）
- 1999年 同 研究企画部長
Cell Genesys社との遺伝子細胞癌ワクチン**GVAX**プロジェクトや、
Corixa社との癌遺伝子ワクチンプロジェクト**Ad-L523S**を立ち上げ
- 2002年 同 研究開発企画部長
- 2004年 米国Gilead社から導入した抗HIV薬**Vilead**のプロジェクトリーダーを担当
2004年3月に厚生労働省から許可取得
- 2004年 オンコリスバイオフーマ（株）設立 代表取締役社長
- 2009年 経済産業省バイオイノベーション研究会委員
- 2016年 Oncolys USA Inc. CEO 兼 取締役会議長就任

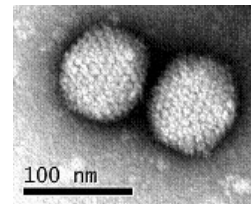
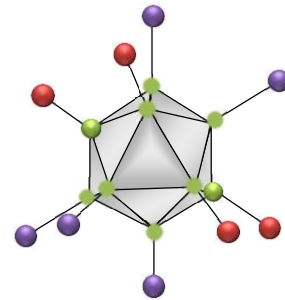


【オンコリスグループ】

取締役	5	(常勤4)
監査役	3	(常勤1)
社員	39	(海外4)
女性	12	(海外2) 30.8%
女性管理職	5	(海外1) 13.1%

ウイルス創薬

がんの ウイルス療法

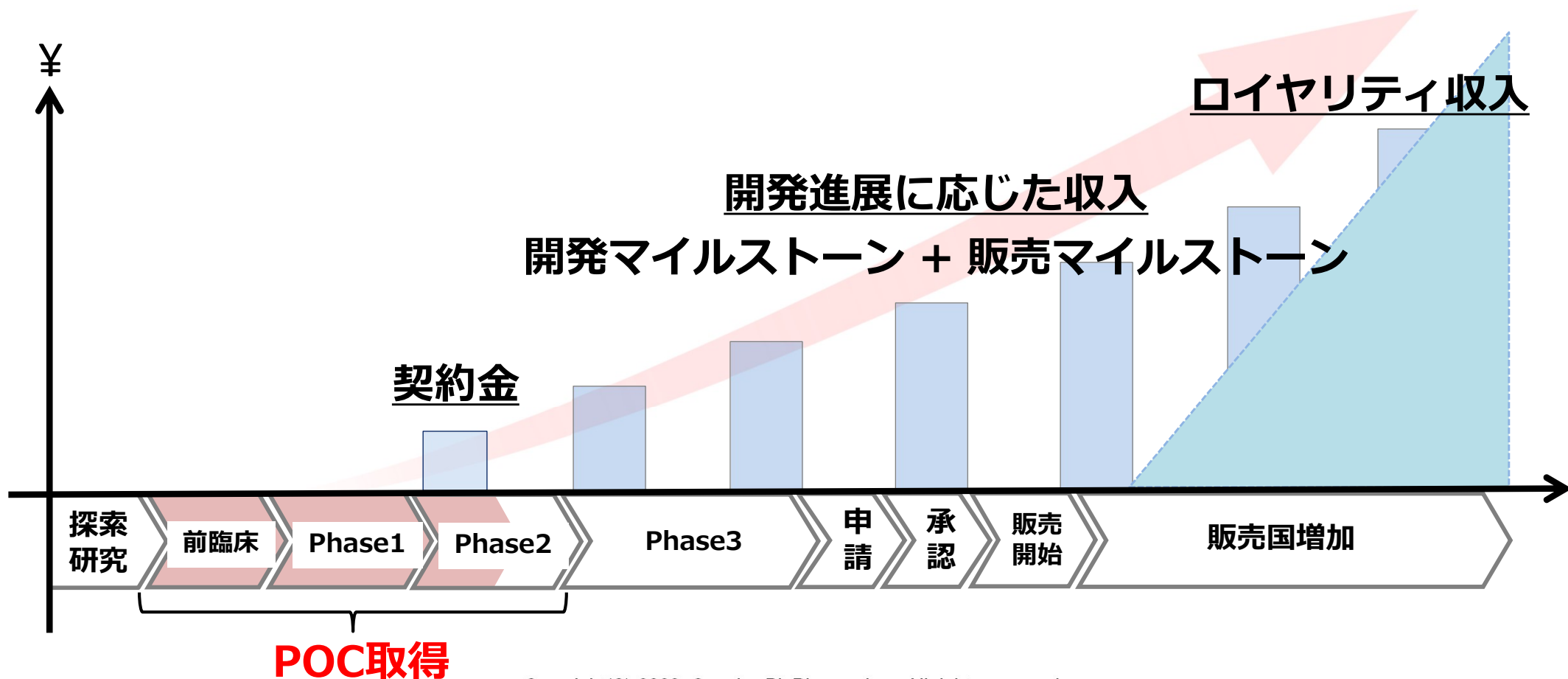


ウイルス感染症 治療薬



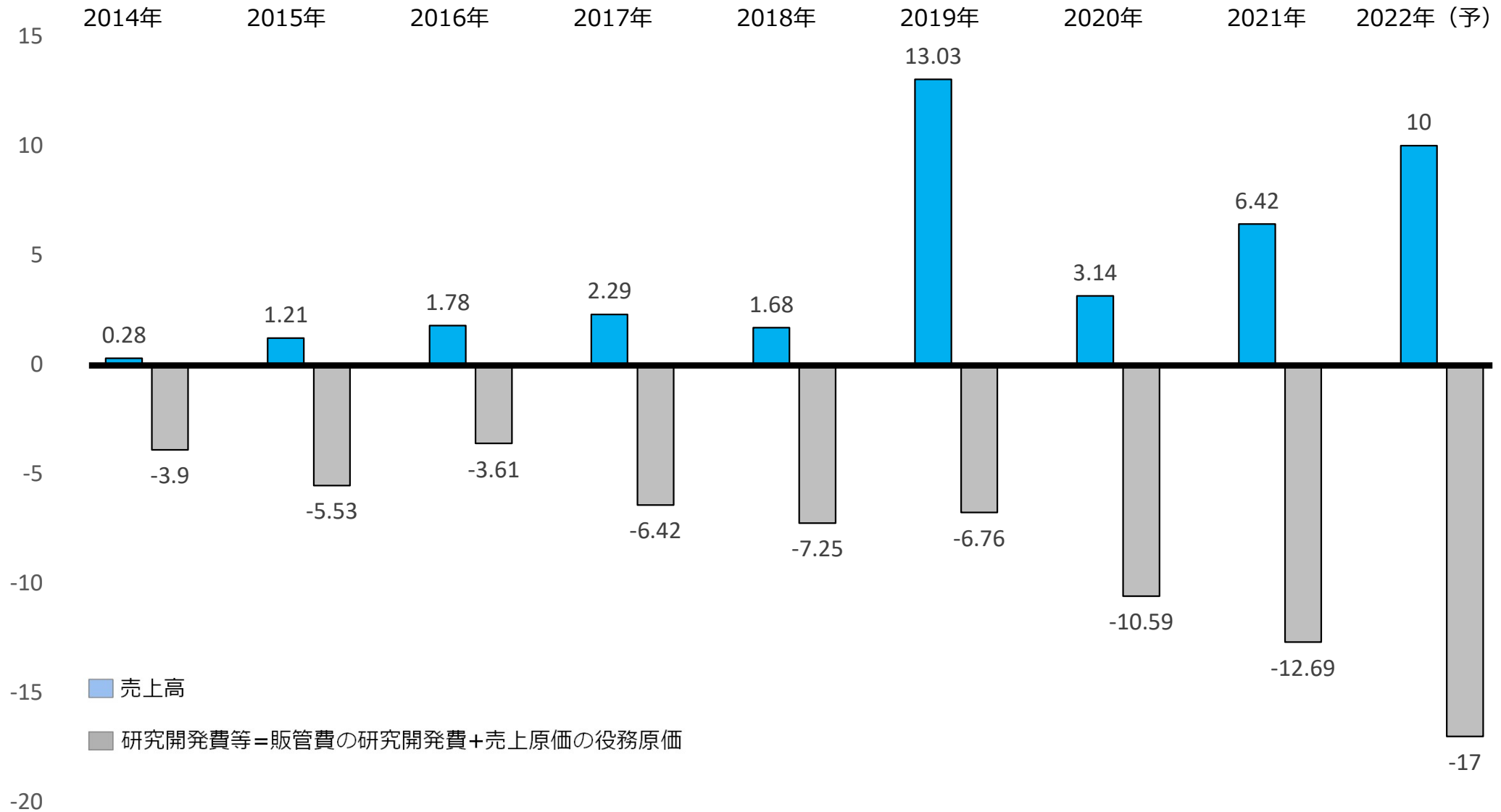
ウイルス学に立脚した創薬技術を駆使して、
がんや重症感染症の治療法に“イノベーション”を起こし、世界の医療に貢献

1. 製品の価値の初期評価（POC：Proof of Concept）を取得するまで研究開発を進める。
2. 「Proof of Concept（POC）取得に時間を要するがん領域」と「相対的に短時間でPOCを確認出来る重症感染症」を組み合わせ、事業の安定化を図っている。
3. 製薬会社へ“開発・製造・販売権”を供与して、契約金やマイルストーン、販売ロイヤリティを受け取るライセンス型ビジネスモデルを基本としている。
4. 自社開発・販売への機動的な切り替えにより、ライセンス型ビジネスモデルだけに依存しない。



製品的価値の初期評価(POC)が商品のため、研究開発費等を重要な経営指標として位置付け

単位：億円



2022年12月期の業績見込み

単位：百万円


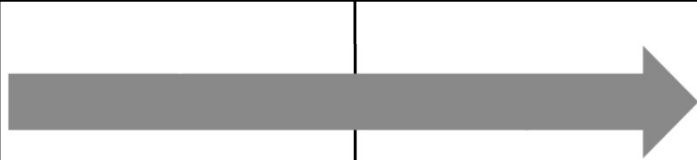

	売上高	営業利益	経常利益	当期純利益
2022年度通期 (予想)	1,000	△1,600	△1,600	△1,600
2021年度通期 (実績)	642	△1,454	△1,500	△1,615

1. テロメライシン（OBP-301）又は新型コロナウイルス感染症治療薬OBP-2011で、新規ライセンス契約の締結を目指す。
2. 2022年度の研究開発費等の予想値：1,700百万円。2021年度実績：1,269百万円。
3. 想定為替レート：1米ドル=115円、1ユーロ=130円を前提。

資金調達に関する説明

2020年12月に新株式及び新株予約権の第三者割当を行い、2021年3月までに総額33億11百万円を調達しました。当初想定額（43億18百万円）と実際の調達額（33億11百万円）の差は、調達期間中の株価変動によるものです。

なお、その後の当社を取り巻く事業環境の変化や調達額の差異などを勘案し、現在OBP-702への資金充当計画は精査中です。

内容	当初想定 (充当金額)	2021年12月期	2022年12月期	2023年12月期以降
がんのウイルス療法テロメライシン (OBP-301)の上市に向けた製法開発 などの研究開発費	2,168 (497)			
新型コロナウイルス感染症治療薬 OBP-2001、OBP-2011及び関連化合物 の非臨床試験、治験薬のGMP製造、 初期の臨床試験などの研究開発費	800 (248)			
次世代テロメライシンOBP-702の非臨 床試験、治験薬のGMP製造、初期の 臨床試験などの研究開発費	1,350 (54)			
合計	4,318 (799)			

開発パイプライン

“成長を支える豊富なパイプライン”

パイプライン開発一覧



開発品	対象疾患	併用療法	前臨床	臨床試験（治験）			申請	承認
				Phase 1	Phase 2	Phase 3		
テロメライシン (OBP-301)	食道がん	放射線 RT				 先駆け指定	2024年 承認申請予定	
		化学放射線 CRT				 オーファン指定		
	胃がん	PD-1 ^{※1}		終了				
		PD-1 ^{※1}						
	肝細胞がん	PD-L1 ^{※2} 分子標的薬		終了		 		
				終了見込				
頭頸部がん	放射線 PD-1 ^{※1}							
OBP-2011	新型コロナウイルス感染症	未定						
OBP-601	PSP ^{※3}	未定					Transposon社	
	ALS ^{※4} /FTD ^{※5}	未定					Transposon社	
OBP-702	固形がん							

開発品	対象領域	基礎研究	臨床研究	臨床性能試験	申請	承認
テロメスキャン	CTC検出					

※1：ペムブロリズマブ、 ※2：アテゾリズマブ、 ※3：進行性核上性麻痺、 ※4：筋萎縮性側索硬化症、 ※5：前頭側頭型認知症

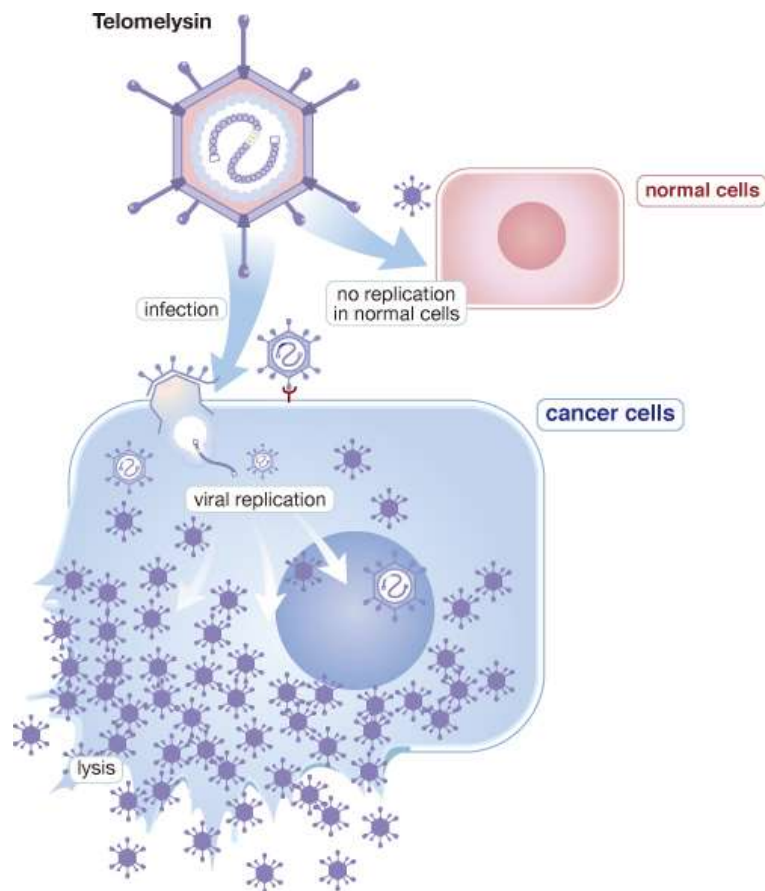
テロメライシン (OBP-301)

“がんを切らずに治す”

1. 2019年4月：中外製薬と「日台のライセンス」&「中国圏除く世界オプション」を締結。先駆け指定。
2. 2020年3月：中外製薬が、食道がん放射線Phase2 FPI。
3. 2020年4月：中外製薬が、2022年にテロメライシンを申請予定と発表。
4. 2021年1月：中外製薬が、肝細胞がんPhase1 FPI。
5. 2021年4月：中外製薬から、2024年へのテロメライシン申請時期の変更連絡を受領。
6. 2021年8月：当社がヘノジェン社での商用製法開発を決定。
7. 2021年9月：中外製薬が、食道がんCRT Phase1と頭頸部がんPhase1の2試験を投与開始前に中止。
8. 2021年10月：当社と中外製薬がライセンス解消に合意。安全性や有効性が理由でないことを両社が確認。
9. 2021年12月：ライセンス解消契約を締結。

1. 当社は2022年10月15日までに、中外製薬から臨床試験を引き継ぐ。
2. 当社が引継ぐまで、中外製薬は同社の費用負担で臨床試験を実施する。
3. 2022年10月15日までにGMP製造の委託先から受領した請求額の約50%を、中外製薬が負担する。
4. 継続していた肝細胞がん試験は、中外製薬との協議により終了する。

臨床での有効性が示されている、遺伝子改変型の腫瘍溶解性5型アデノウイルス

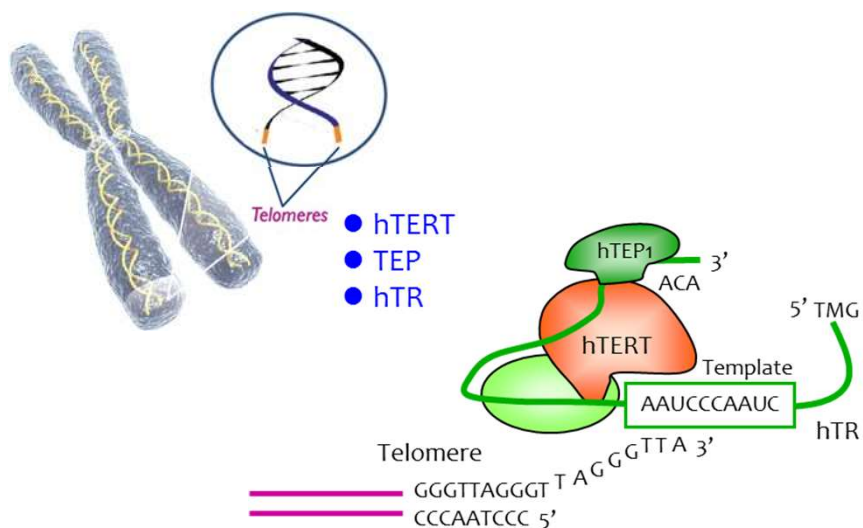


1. hTERTによって、がん特異的な細胞死を誘導する。
2. 食道がんにおける標準療法を目指す。
3. 放射線療法の併用による安全性・有効性を確認した。
4. アブスコパル効果（遠隔効果）を確認した。
5. 日本では「先駆け審査制度」、米国では「希少疾病用医薬品」に指定されている。
6. 免疫チェックポイント阻害剤との併用を期待している。

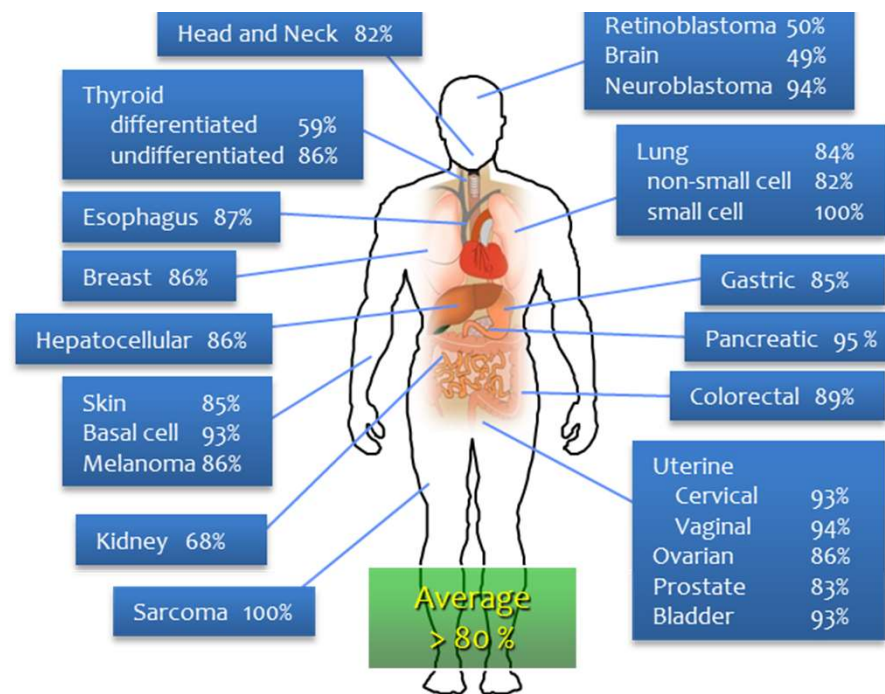
テロメラーゼは、がん治療の有力なターゲット

1. テロメラーゼは染色体の3'末端にTTAGGGリピートを付加するリボ核タンパク質酵素です。
2. がん細胞の不死化には反復DNA配列の付加による、染色体末端の分解が防がれる必要がある。
3. 悪性腫瘍の大部分はテロメラーゼを発現しているが、ほとんどの正常な体細胞組織ではテロメラーゼの発現は抑制されている。

テロメラーゼタンパク複合体



がんにおけるテロメラーゼ活性



1. がん細胞を破壊することができるように遺伝子改変された5型アデノウイルス。
2. テロメラーゼ活性の高いがん細胞で特異的に増殖し、がん細胞を破壊する。
3. テロメラーゼ活性の低い正常な細胞では、増殖能力が極めて低いため、臨床的に安全性が高いことが期待されている。

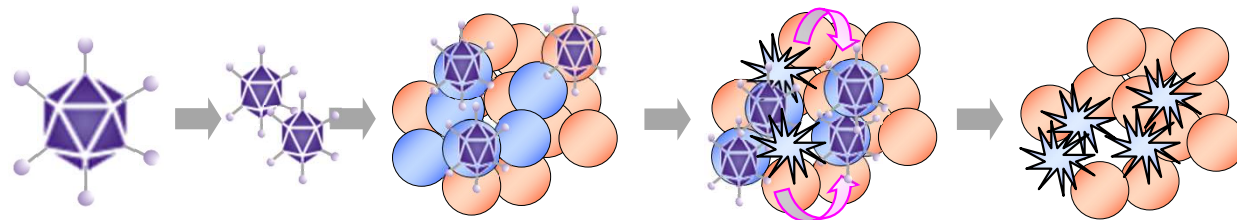
テロメライシンの遺伝子構造

ヒトテロメラーゼ
プロモーター

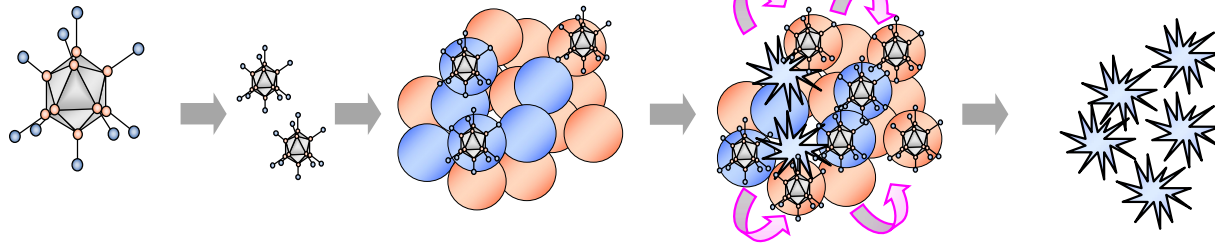


$\Delta E1$

遺伝子改変したアデノウイルス
(テロメライシン)

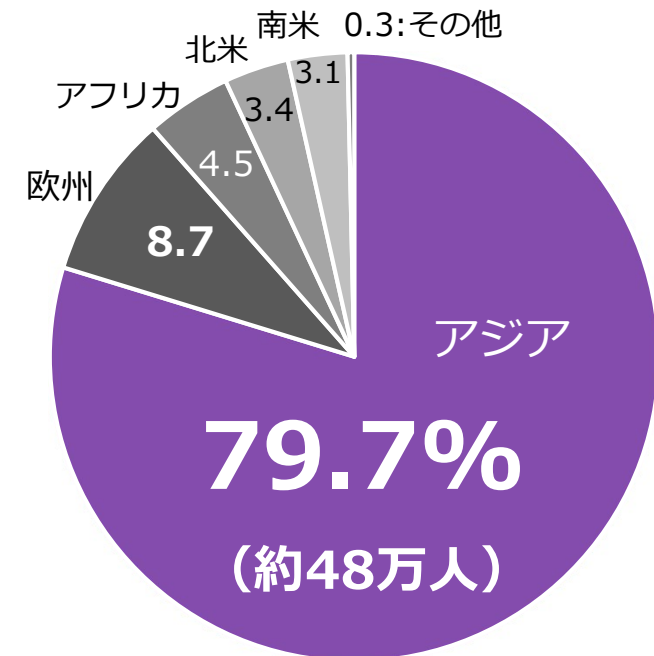


遺伝子未改変の
野生型アデノウイルス



○ 正常細胞
○ がん細胞

1. 診断時から嚥下障害や栄養障害などによってQOLが低下する。
2. 食道癌の手術は侵襲が大きい。
3. 免疫チェックポイント阻害剤、分子標的薬、従来の化学療法では、局所的なCRの達成が困難である。
4. 化学療法では重篤な有害事象が発生する。
5. 食道がん全体の5年生存率は41.5%であり、StageIII, StageIVではそれぞれ25.3%, 12.1%と低い。
6. アジアを中心に全世界で60万人以上の患者がいる。



2020年世界の食道がん罹患数

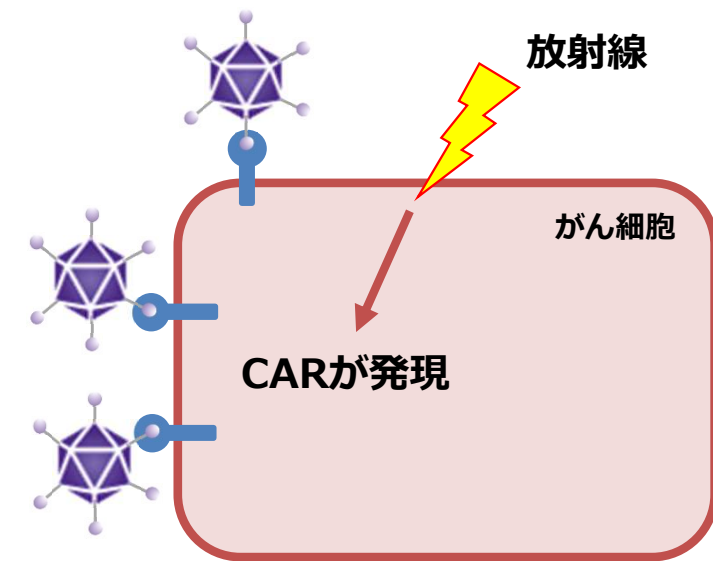
(世界の患者数：60万4千人)


※出所：「CANCER TOMORROW (2020)」公開情報を基に当社作成

患者QOLの改善につながる新規治療法の開発が必要

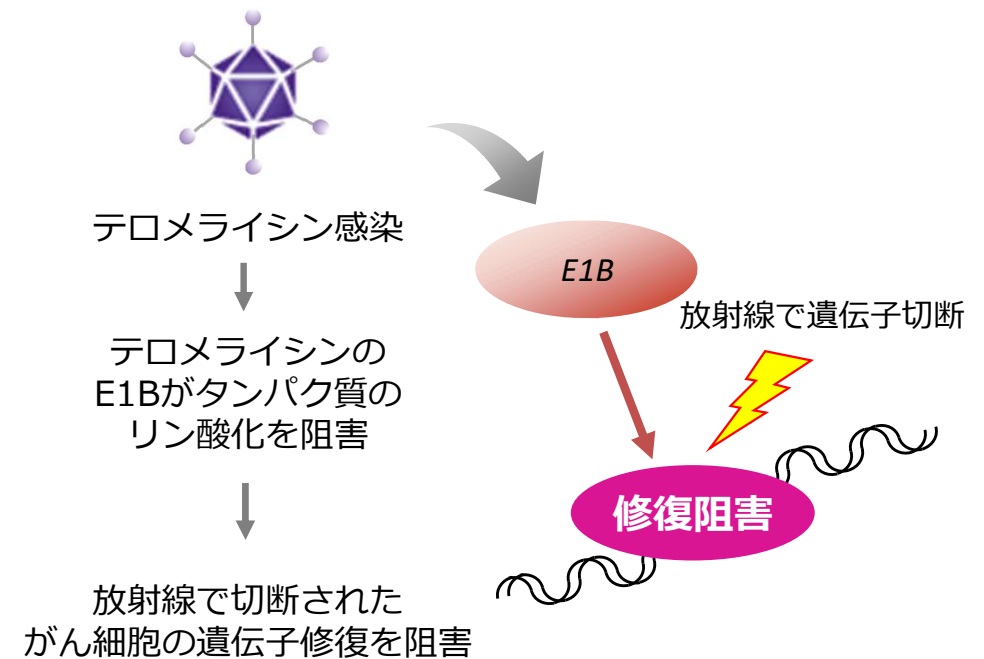
テロメライシンと放射線治療との併用による相乗効果

1. 放射線の照射によりCARが発現しテロメライシンの感染が向上

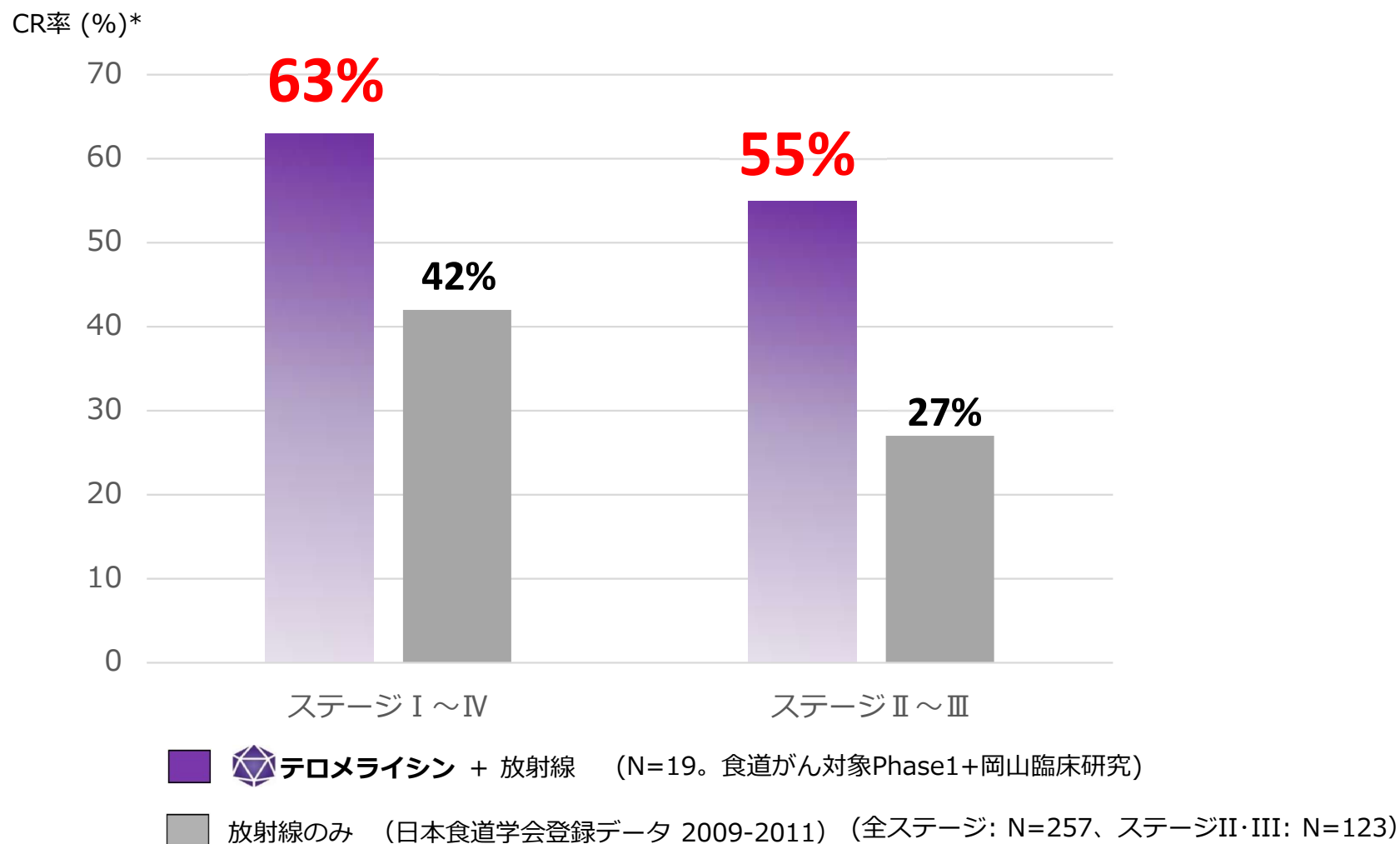


 コクサッキー・アデノウイルス・レセプター (CAR)

2. 放射線が切断したがん細胞の遺伝子修復をテロメライシンが阻害

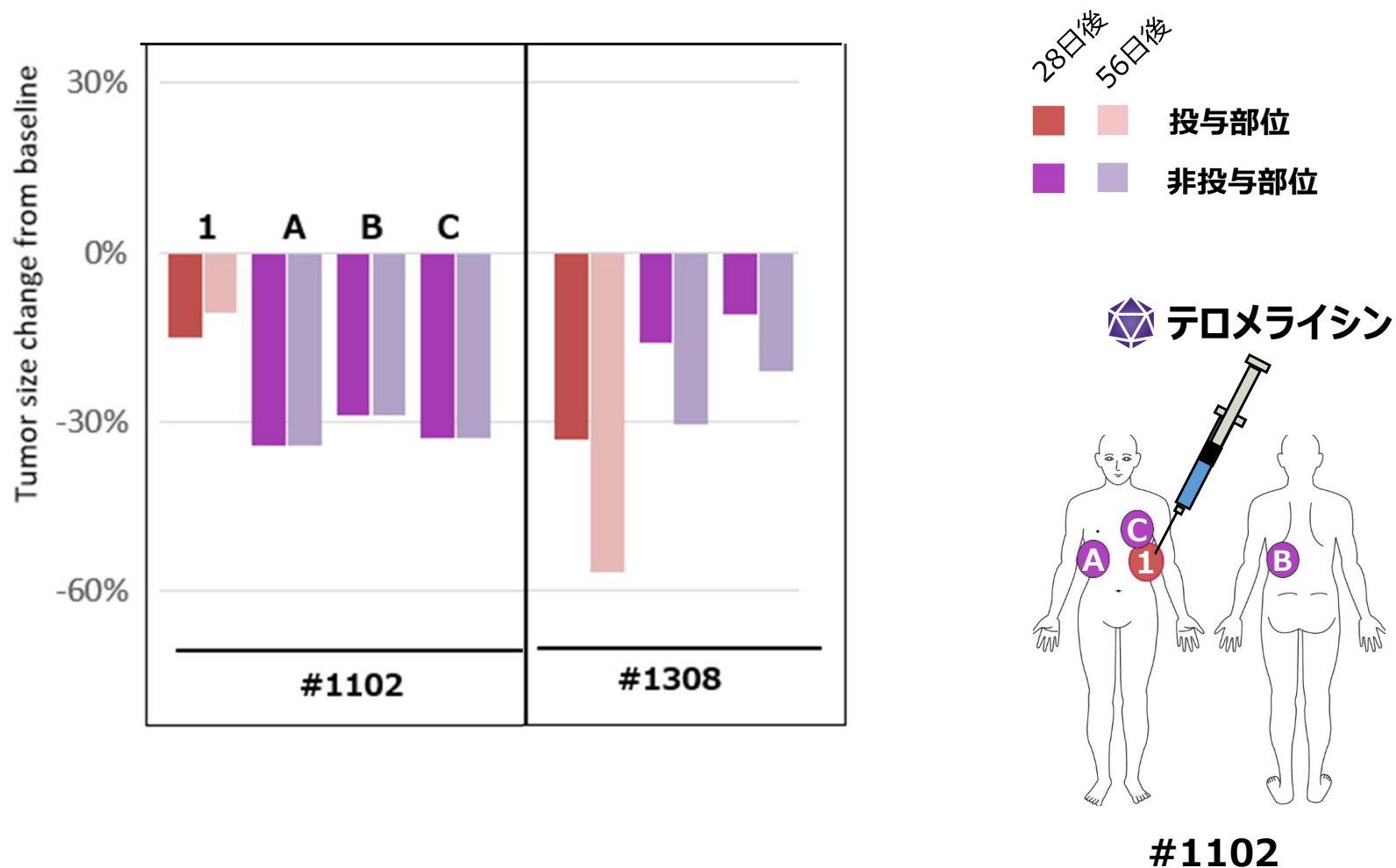


テロメライシンと放射線治療の併用で高い相乗効果を達成



* 局所寛解率

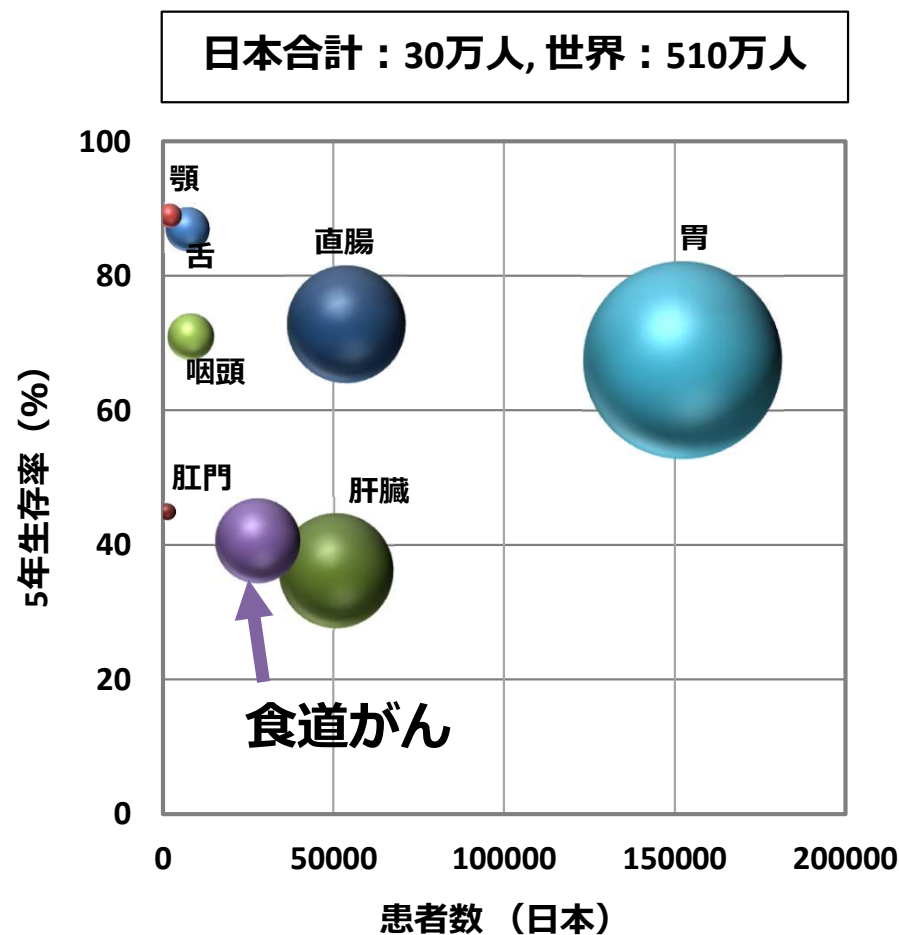
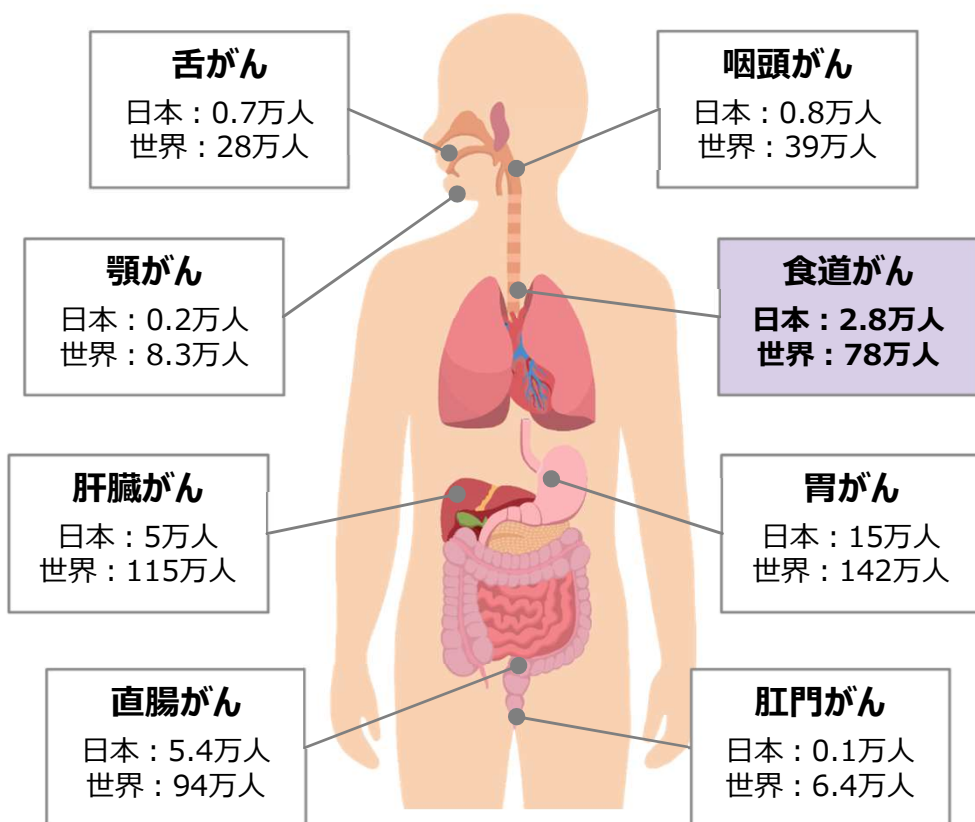
テロメライシン投与部位以外で腫瘍の縮小が認められた





“マーケットと開発戦略”

“食べ物の入り口から出口まで”



出所：患者数：WHO IARC (International Agency for research on cancer) (<https://www.iarc.fr/>)
 5年生存率：がん統計 (https://ganjoho.jp/reg_stat/index.html) を参照し当社作成

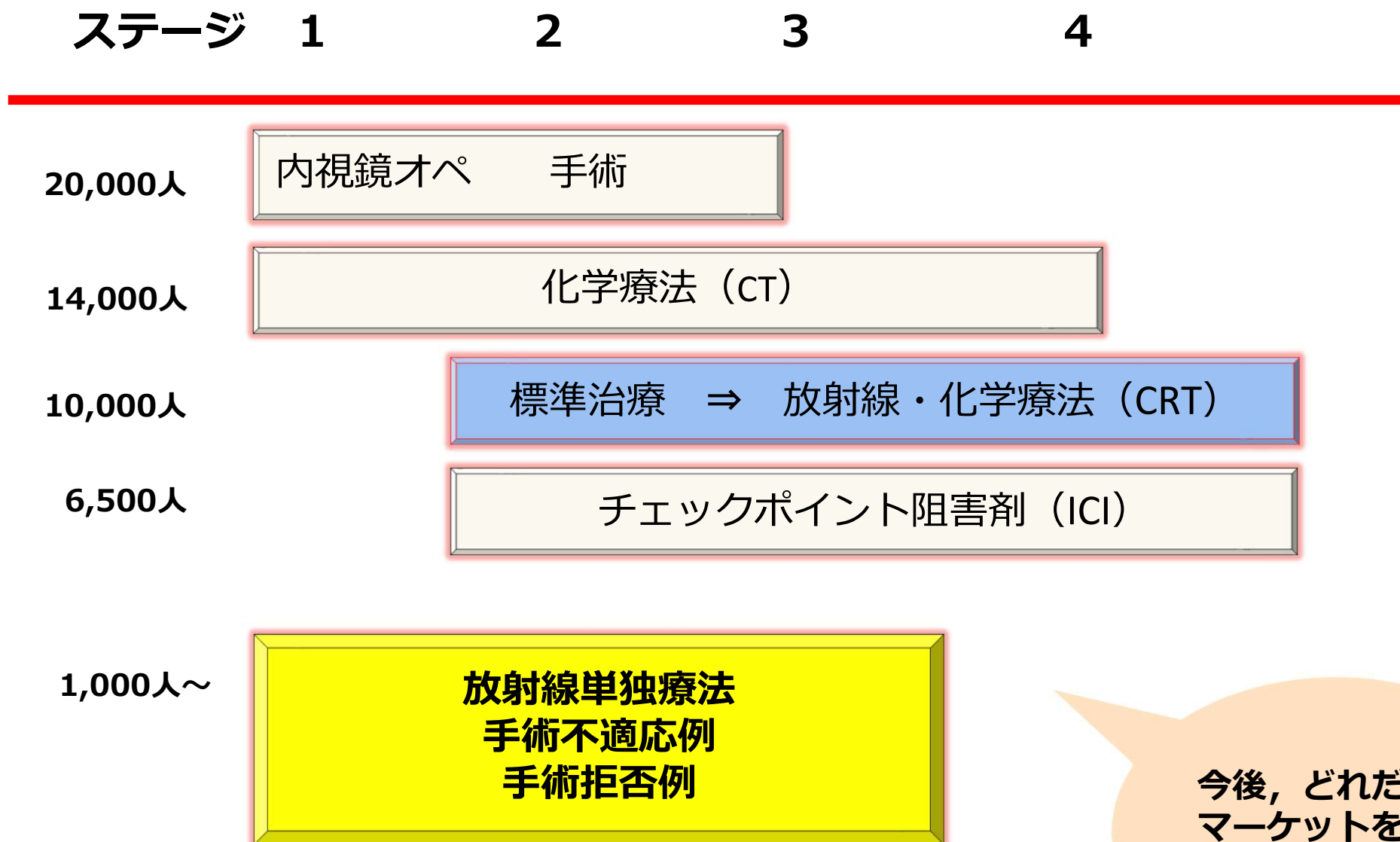
テロメライシンは現在 “食道がん” での適応を目指している

但し、保険適応となるのは

- 手術の適応とならない食道がん患者
- 放射線単独療法との併用で使用
- または、手術を拒否した食道がん患者

となる。

そのマーケットサイズは・・・

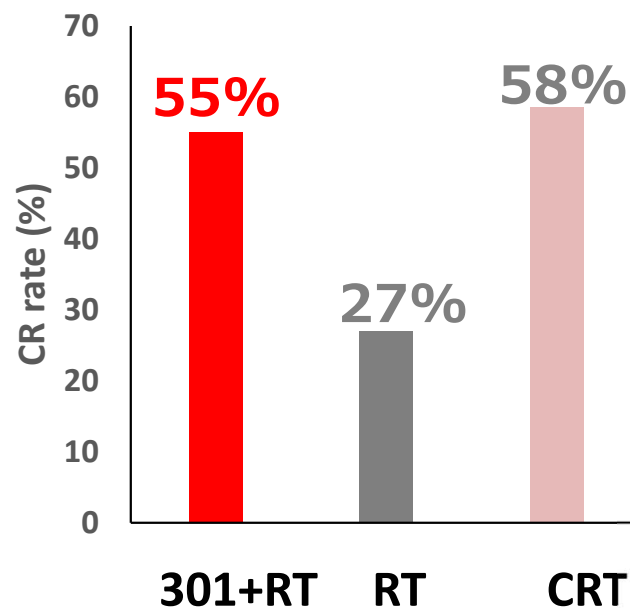


今後、どれだけの
マーケットを獲得
できるか

出所：院内がん登録全国集計2020年を参考に当社作成

<CRTの重い副作用>

有害事象	(%)
白血球減少	97.9
好中球減少	96.8
血小板減少	95.7
食欲不振	78.7
吐気	55.3



日本国内だけでも15,000人
250億円以上のマーケット

CRT

重い副作用の化学療法

有効性は同程度



TRT

軽い風邪症状のみの
放射線テロメライシン療法

出所：CRT副作用、放射線化学療法奏効率：JCOG00909:「臨床病期II/III (T4を除く) 食道癌に対する根治的放射線療法 +/- 救済治療の検証的非ランダム化試験」, RT(放射線)のみ奏効率：(日本食道学会登録データ 2009-2011) を参照。
患者数：院内がん登録全国集計2020年を参考に当社作成

放射線・化学療法

CRT

化学療法による
重い副作用が問題

~1000人

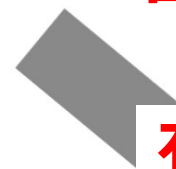


より高い効果
副作用は問題

テロメライシン・
放射線・化学療法

TCRT

~15,000人

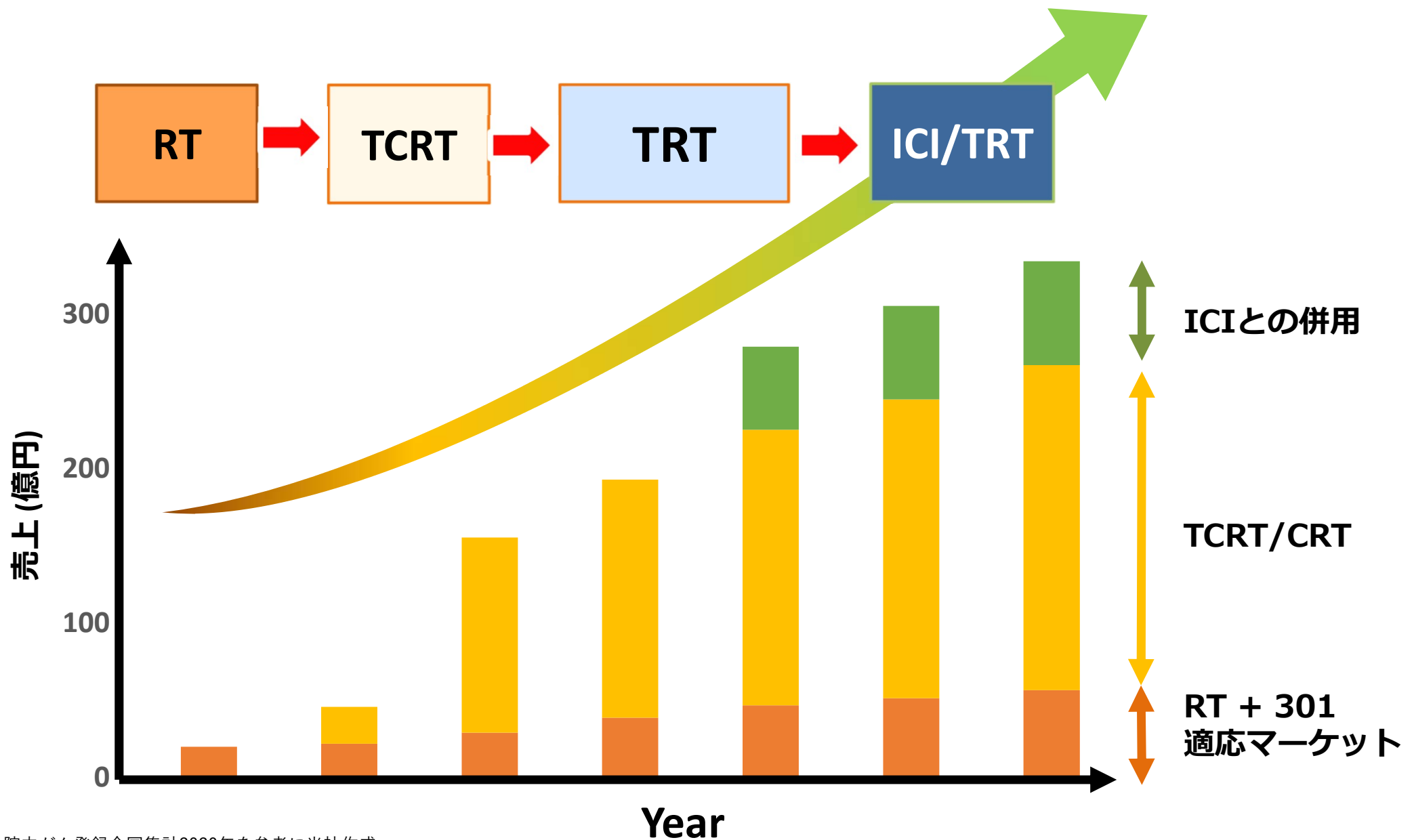


有効性は同程度

テロメライシン・放射線療法

TIRT

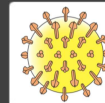
“テロメライシンによる副作用は
風邪症状だけ”



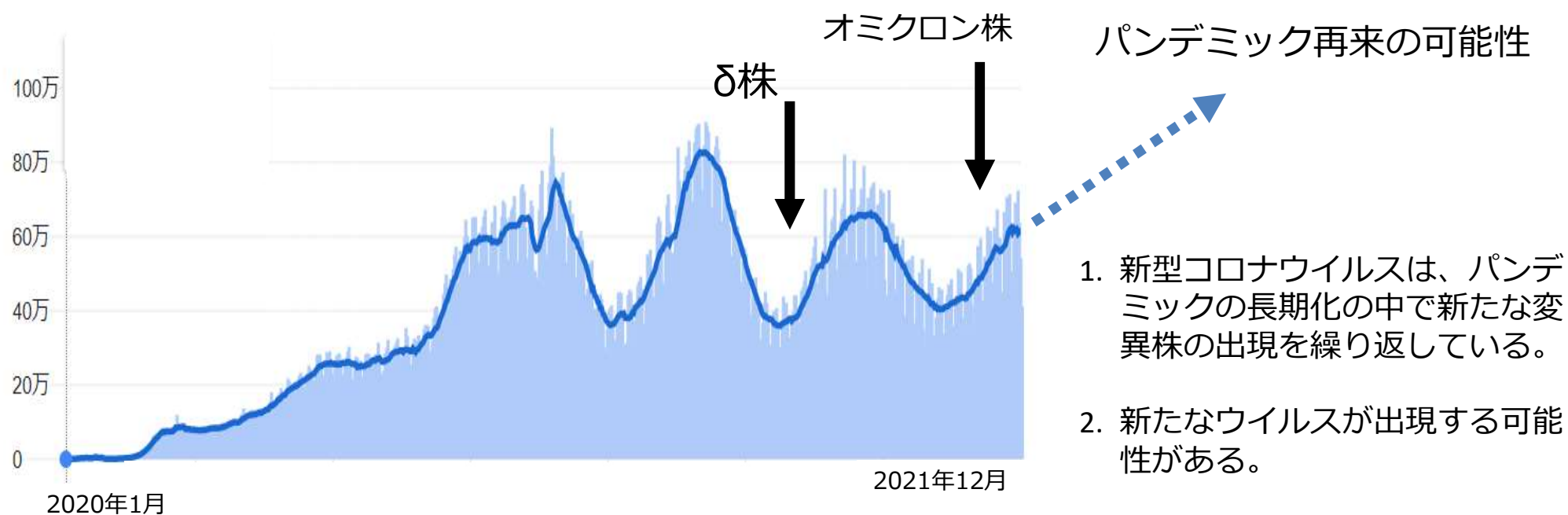
出所：院内がん登録全国集計2020年を参考に当社作成

経口コロナ治療薬OBP-2011

“マスクのいらぬ世界を創る”



将来起こるパンデミックにも対応可能な治療薬開発を目指す



世界の新型コロナウイルス感染症感染者数の推移

出所：Our World in Data基に当社作成。

BOCP : Baba-Oncolys COVID Project

共同開発会議を開催

鹿児島大学
ヒトレトロウイルス学
共同研究センター

馬場 昌範 教授

筑波大学

国立感染症研究所



Project Leader

化合物合成・SAR

ナード研究所

橋本 宏正
(元JT医薬総研化学研究所長)

GMP製造

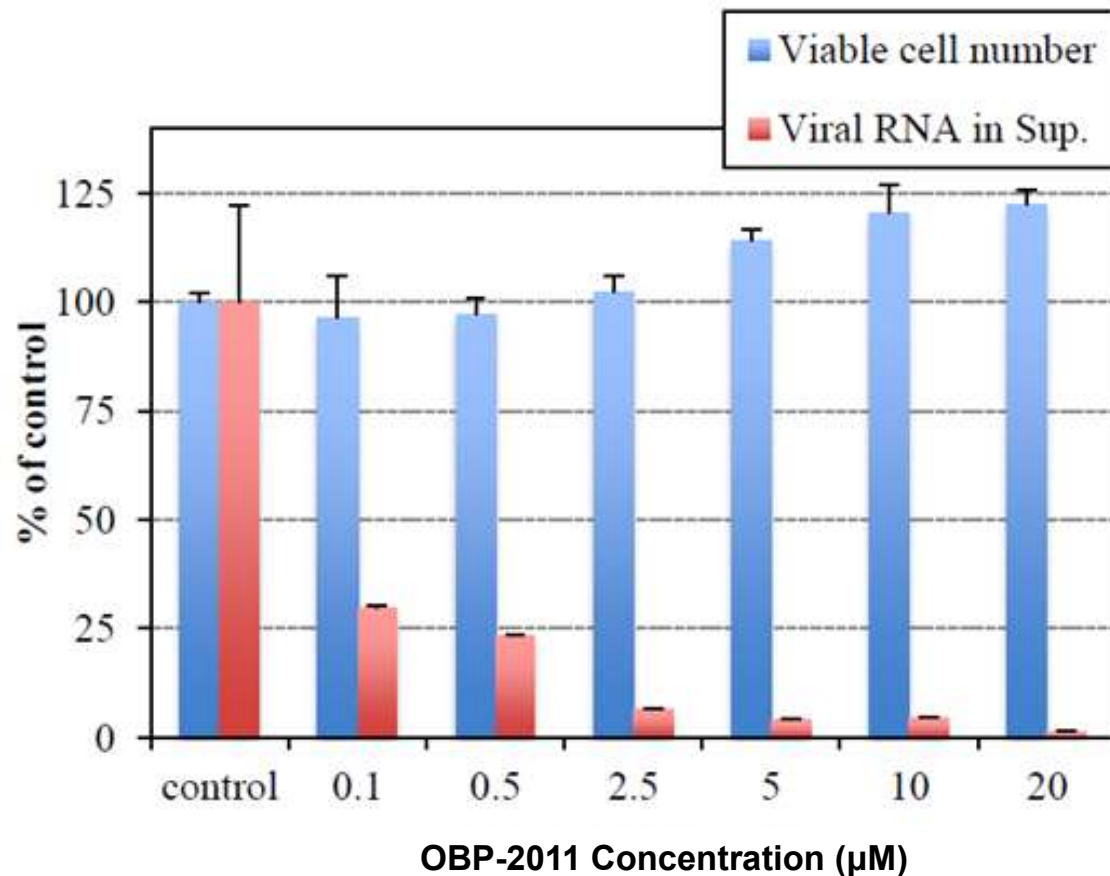
スペラファーマ

スペラネクサス

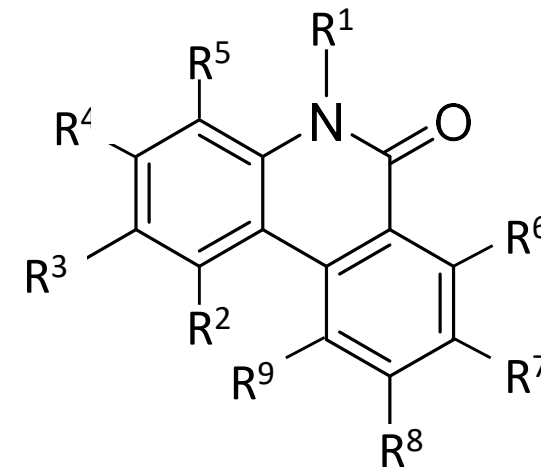
前臨床試験

新日本科学

OBP-2011は細胞障害性を示すことなく 用量依存的にSARS-Cov-2増殖を抑制



HEK293/ACE2細胞使用



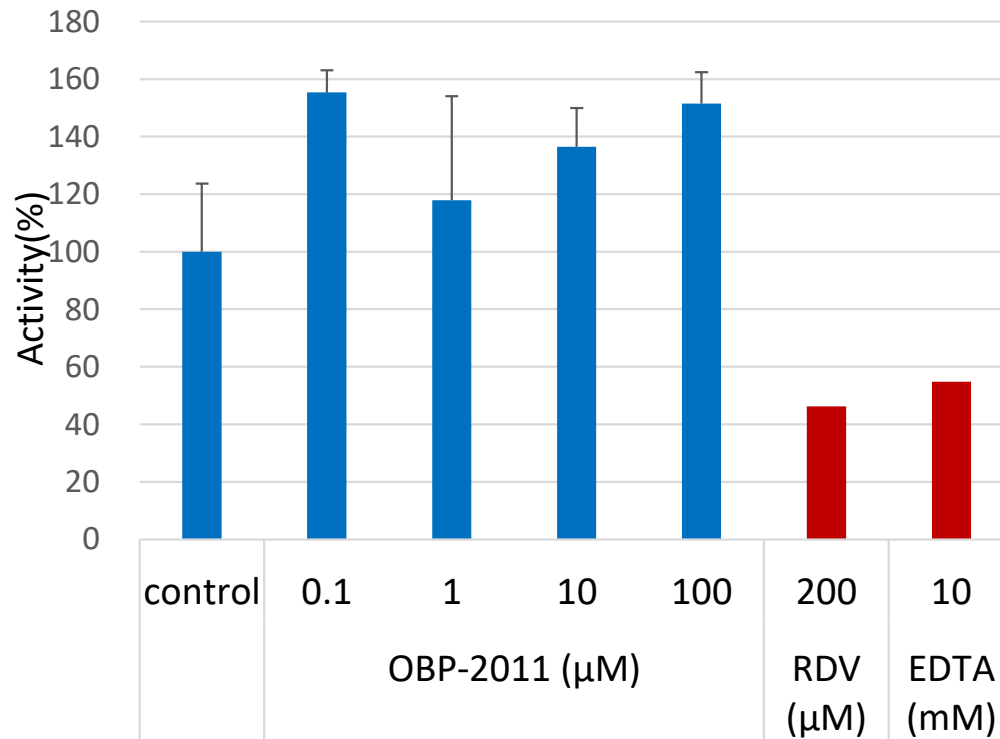
Compounds	EC ₅₀ (µM)	EC ₉₀ (µM)	CC ₅₀ (µM)
OBP-2011	0.063	1.78	20
レムデシビル	0.015	0.03	>5
モルヌピラビル	0.88	1.79	>20

OBP-2011は広範囲のコロナウイルス変異株に作用する

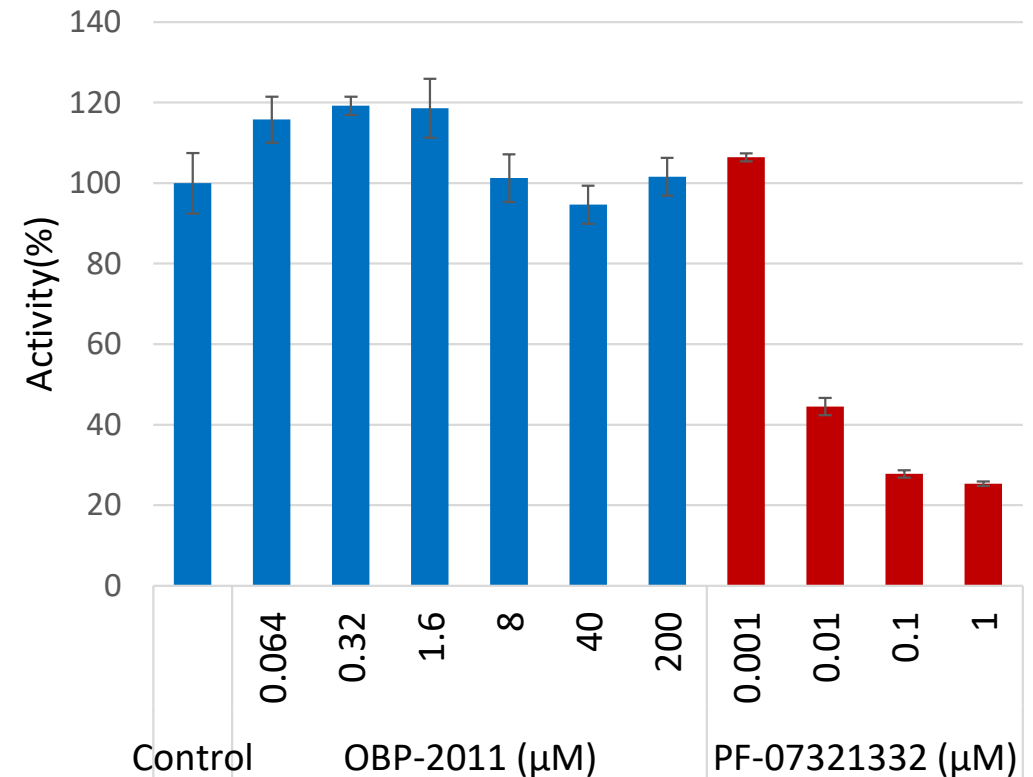
ウイルス		EC ₅₀ (μM) (VERO細胞)	相対活性 (従来株との比活性)	
SARS-CoV2 新型コロナ (2019)	従来株	(WK-521)	4.40	1.0
		(QK002, UK)	3.37	1.3
	アルファ	(QNH001, UK)	4.07	1.1
		(QNH002, UK)	3.62	1.2
	ベータ	(TY8-612, SA)	5.12	0.9
	ガンマ	(TY7-501, BR)	3.53	1.3
		(TY7-503, BR)	5.28	0.8
	デルタ	(Y11-927, IN)	3.47	1.3
	オミクロン	(TY8-873, SA)	2.80	1.5
SARS-CoV1 (2002)	-	2.15	(2.1)	
MERS-CoV(2012)	-	0.74	(6.0)	

今後起こりえるパンデミックにも対処可能

ポリメラーゼ活性

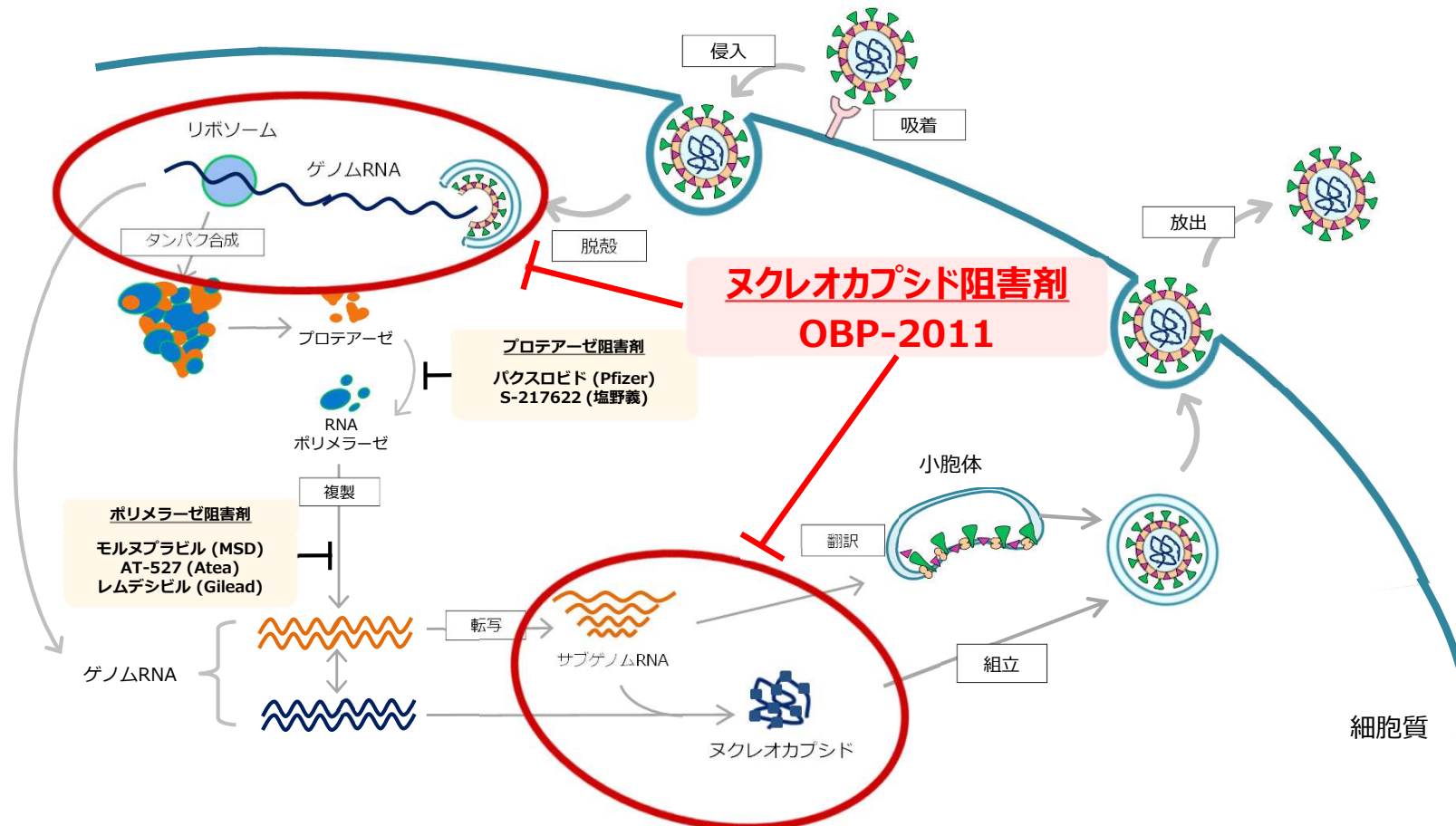


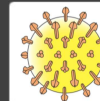
プロテアーゼ活性



**OBP-2011の抗ウイルス効果は、ポリメラーゼ阻害作用、
プロテアーゼ阻害作用によるものではない**

1. ヌクレオカプシドタンパク質を標的とした、First-in-classの治療薬である。
2. メカニズムが異なる他剤との併用療法が期待される。





2022年
治験申請

前臨床

1. パイロット製造～GMP製造
2. 治験薬の製剤化
3. 変異ウイルスへの効果確認
4. 有効性薬理（ハムスター）
5. 毒性（ラット・イヌ）
6. 遺伝毒性
7. 薬物代謝酵素／蛋白結合
8. hERG
9. 生体内分布
10. 薬物動態

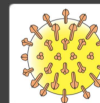
臨床試験

P1a：単回投与

P1b：反復投与

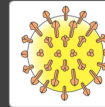
P1c/2a：
抗原陽性（症状あり/なし）患者

POC取得



名称	作用機序	開発	オリジン	開発経緯	売上・市場予測
OBP-2011	ヌクレオカプシド阻害剤		オンコリス	2020年 SARS-CoV2スクリーニングから発見し開発を開始	
モルヌピラビル	RNAポリメラーゼ阻害剤	米メルク	Drug Innovation Ventures at Emory	2014年 ベネズエラ馬脳炎ウイルスを対象として先行化合物を発見	\$7B ³
AT-527	RNAポリメラーゼ阻害剤	ロシュ	Atea Pharmaceuticals	2017年 HCVを想定してPhase 1 開始 その後コロナに転換 2021年 Phase 2で中止	一時金 \$350M 総額 \$800M
パクスロビド	プロテアーゼ阻害剤	ファイザー	ファイザー	2002年 SARSを対象に先行化合物の開発を開始	>5.3B ¹
S-217622	プロテアーゼ阻害剤	塩野義	塩野義	SARS/MERSの頃から研究開始 2020年Phase 1 開始	100万人分の生産体制 ²

1 <https://www.fiercepharma.com/pharma/Pfizer-throws-5b-covid-pill-deal-onto-pandemic-revenue-pile> 2 <https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=71880> 3 <https://www.bloomberg.co.jp/news/articles/2021-10-28/R10P83DWX2QS01>



1. OBP-2011は、各種コロナウイルスへ効果を有することが示唆されている。
アルファ株、ガンマ株、デルタ株、ベータ株、オミクロン株、SARS、MERS
→**パン-コロナウイルス阻害剤**としての位置づけ
2. OBP-2011は、ポリメラーゼ阻害/プロテアーゼ阻害作用を持たない。
3. モルヌピラビルの優先順位は下がった
4. パキロビッドは**併用薬制限が厳しい**
5. 新規メカニズム解明 ⇒ 国立感染症研究所との共同研究
6. 動物試験による有効性の証明 → 筑波大学との共同研究



抗ウイルス薬を手掛ける製薬企業の考え

ポリメラーゼやプロテアーゼの遺伝子変異ウイルスが出てくるだろう
今後10年以内に「SARS CoV-3」が出てくる可能性は高い

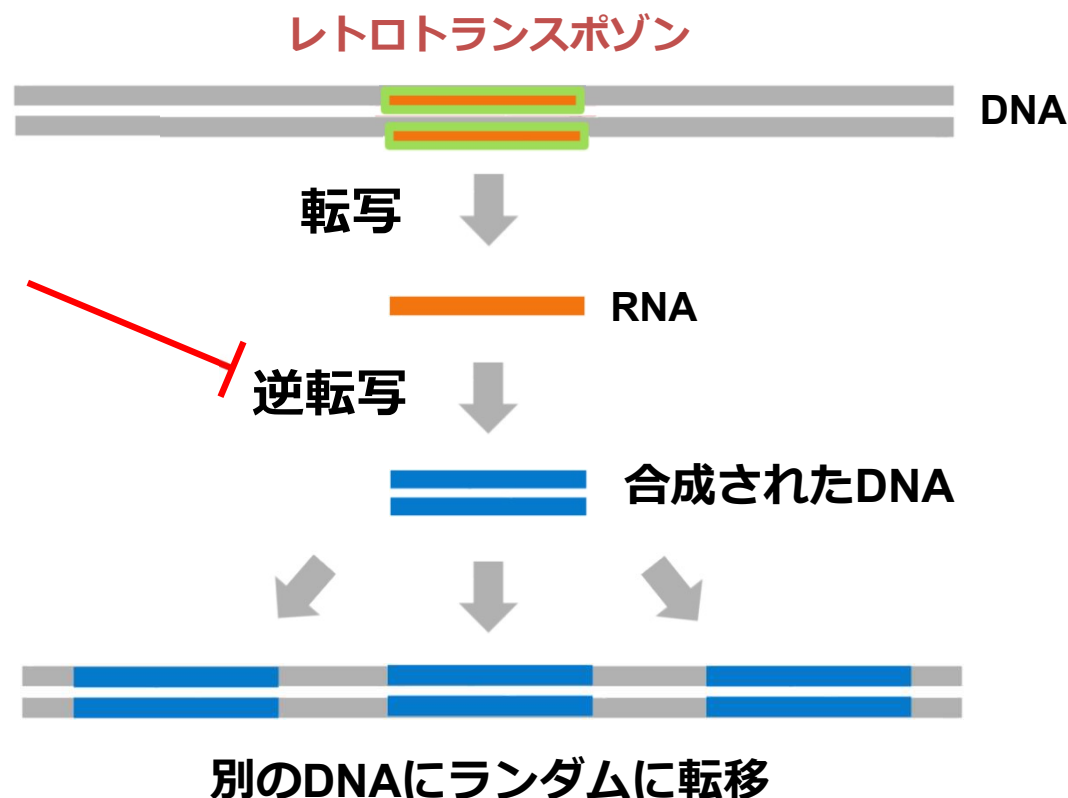
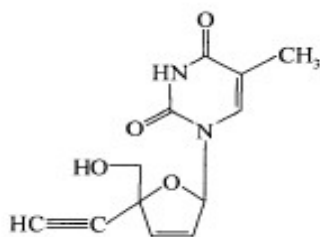
新たなメカニズムを持った経口コロナ治療薬は必要

censavudine (OBP-601)

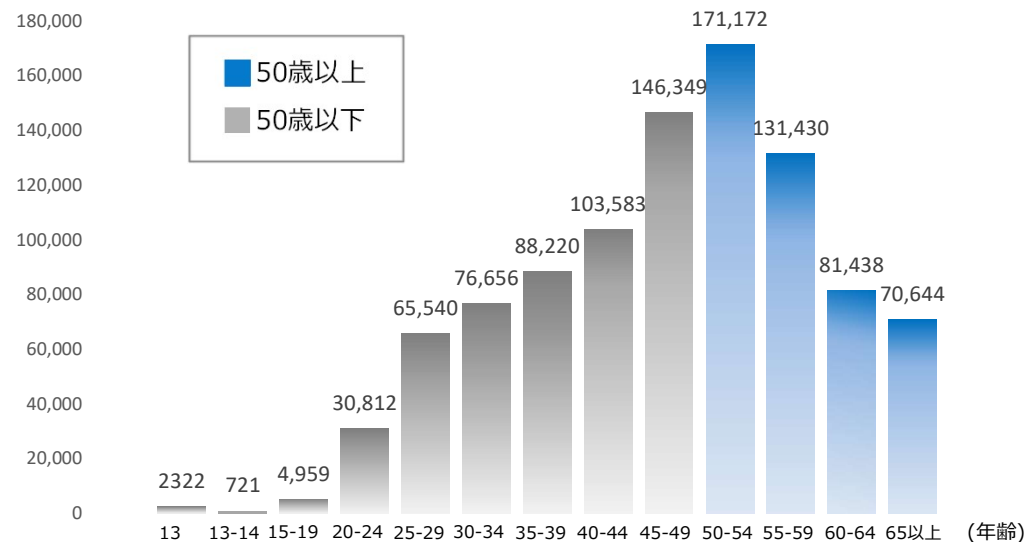
“神経難病への可能性”

1. ヒトのゲノムの約半分は「動く遺伝子」と呼ばれるトランスポゾンで構成され、その大部分が「逆転写酵素」によってゲノムの他の箇所へと転移する**レトロトランスポゾン**である。
2. **レトロトランスポゾン**は、内在性レトロウイルスと考えられ、太古に感染したヒトレトロウイルスの痕跡と言われ、ヒトゲノムの約8%を占める
3. LINE-1 (Long Interspersed Element) のランダムな転移が、様々な病態を引き起こすと考えられている

OBP-601
逆転写酵素阻害剤



1. 神経変性疾患の原因の一つにレトロトランスポゾンが関係していることが知られてきた
⇒ レトロトランスポゾンの転移・蓄積によって脳・運動神経にダメージ = **神経変性疾患の原因**
2. HIV治療薬を長期服用した患者は、アルツハイマー病等の**神経変性疾患を発症する割合が低い**



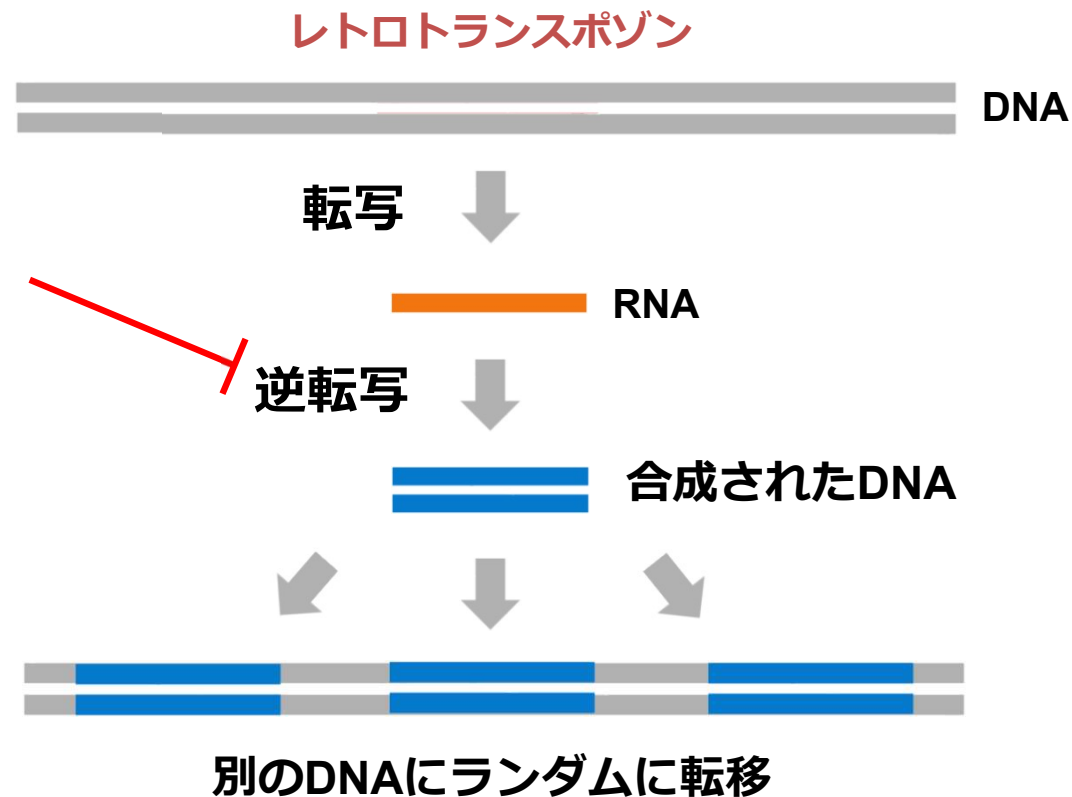
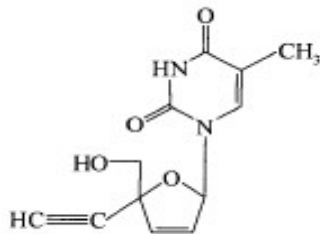
HIV患者におけるアルツハイマー病の推移

出所：「Diagnoses of HIV Infection in the United States and Dependent Areas, 2016」を基に当社作成

1. HIVとして開発した多くの臨床安全性データがある。
2. がん原生試験など長期毒性試験が終了している。
3. 他の逆転写酵素阻害剤と比較して脳内移行性が高い。

レトロトランスポソンの“逆転写”を阻害する ⇒ 神経変性疾患への治療薬として開発

OBP-601
逆転写酵素阻害剤



Transposon Therapeutics, Inc. と独占的ライセンス契約を締結（2020年6月）

1. 対象疾患：神経変性疾患
2. 地域：全世界
3. 契約総額：3億ドル以上（販売ロイヤリティ収入を除く）
4. ロイヤリティ率：Transposon社の意向で非公開
5. 開発・製造・販売のコストは全てTransposon社が負担

Phase 2 臨床試験（プラセボ対象二重盲検比較試験）が欧米で進行中

1. **TPN-101-PSP-201**: 進行性核上性麻痺（PSP） → 2021年11月投与開始
2. **TPN-101-C9-201**: 筋萎縮性側索硬（ALS）／前頭側頭型認知症(FTD) → 2022年1月投与開始

未だ治療法が確立されていない神経難病を対象としている

進行性核上性麻痺 (PSP)



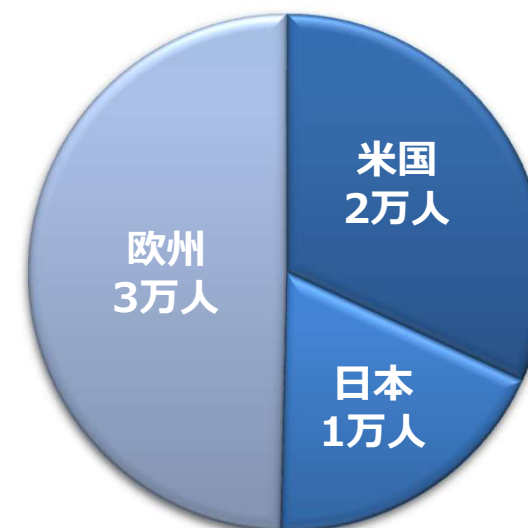
合計 : 5.2万人

前頭側頭型認知症 (FTD)



合計 : 18.2万人

筋委縮性側索硬化症 (ALS)



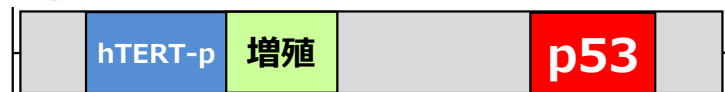
合計 : 6万人

PSP, 日本: https://www.neurology-jp.org/guidelinem/degl/degl_2017_09.pdf 米国: <https://www.ajmc.com/view/study-estimates-prevalence-of-psp-highlights-suggestive-symptoms-prior-to-diagnosis> EU: [https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015\(19\)34222-6/fulltext?returnURL=https%3A%2F%2Flinkinghub.elsevier.com%2Fretrieve%2Fpii%2FS1098301519342226%3Fshowall%3Dtrue](https://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(19)34222-6/fulltext?returnURL=https%3A%2F%2Flinkinghub.elsevier.com%2Fretrieve%2Fpii%2FS1098301519342226%3Fshowall%3Dtrue)
 FTD, 日本: <https://www.nanbyou.or.jp/entry/4841> 米国: [https://www.theftd.org/what-is-ftd/disease-overview/#:~:text=FTD%20is%20the%20most%20common,FTLD\)%2C%20or%20Pick's%20disease](https://www.theftd.org/what-is-ftd/disease-overview/#:~:text=FTD%20is%20the%20most%20common,FTLD)%2C%20or%20Pick's%20disease) EU: https://www.ema.europa.eu/en/documents/orphan-designation/eu/3/20/2359-public-summary-opinion-orphan-designation-adenovirus-associated-viral-vector-serotype-9-expressing_en.pdf
 ALS, 日本: https://als-station.jp/recent_situation_01.html 米国、EU: Neuroepidemiology. 2019;52(1-2):93-103.

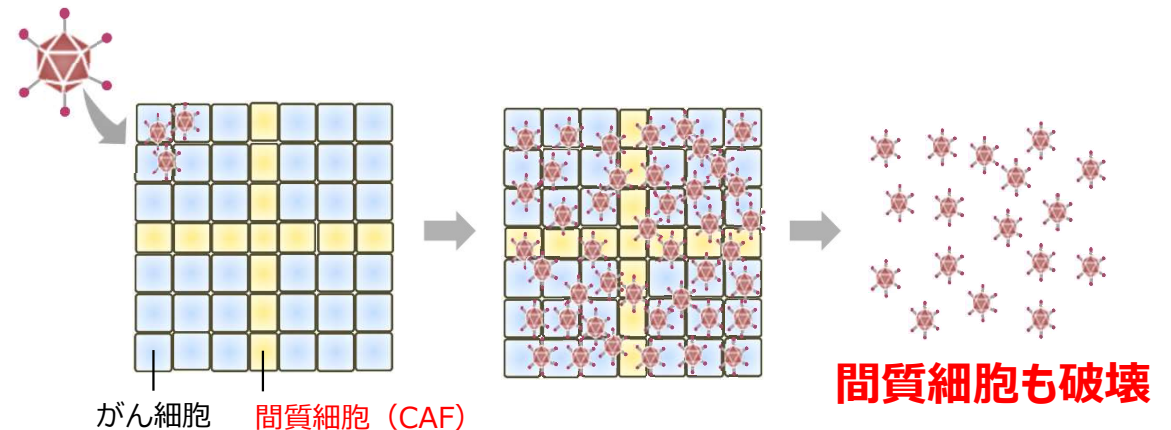
次世代テロメライシン（OBP-702）

“治らないがんへの挑戦”

1. 抗がん剤治療の妨げとなる間質細胞（CAF: Cancer Associated Fibroblast）を破壊
2. アポトーシスとオートファジーのダブルで細胞死を誘導
3. テロメライシンより約10倍～30倍高い活性
4. p53遺伝子欠損・変異がんへの効果
5. ゲムシタビン耐性膀胱癌モデルにおいてCPI併用効果を確認 ⇒ Phase 1 からCPIとの併用検討

 **OBP-702****腫瘍溶解・遺伝子治療**

『Oncolytic Gene Therapy』

 **テロメライシン**

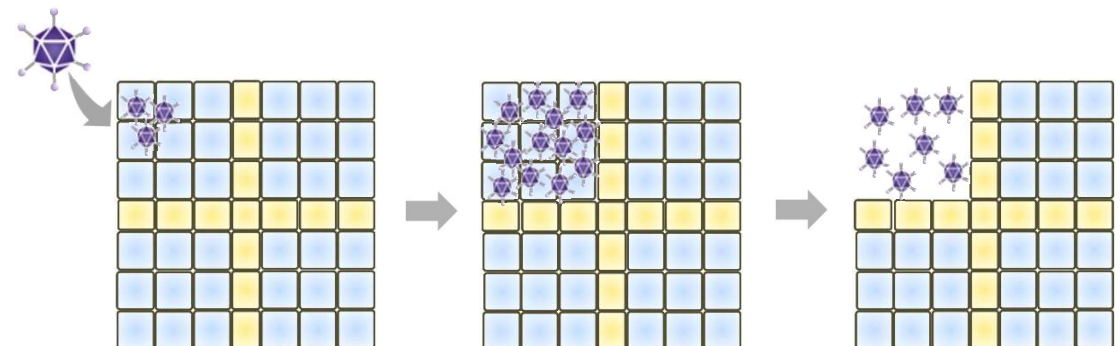
がん特異性



強力ながん抑制



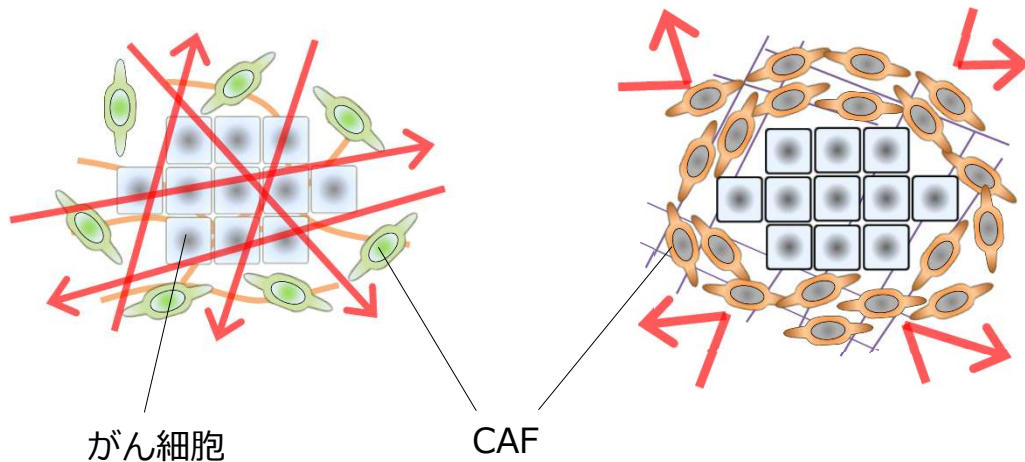
Advexin : p53遺伝子治療



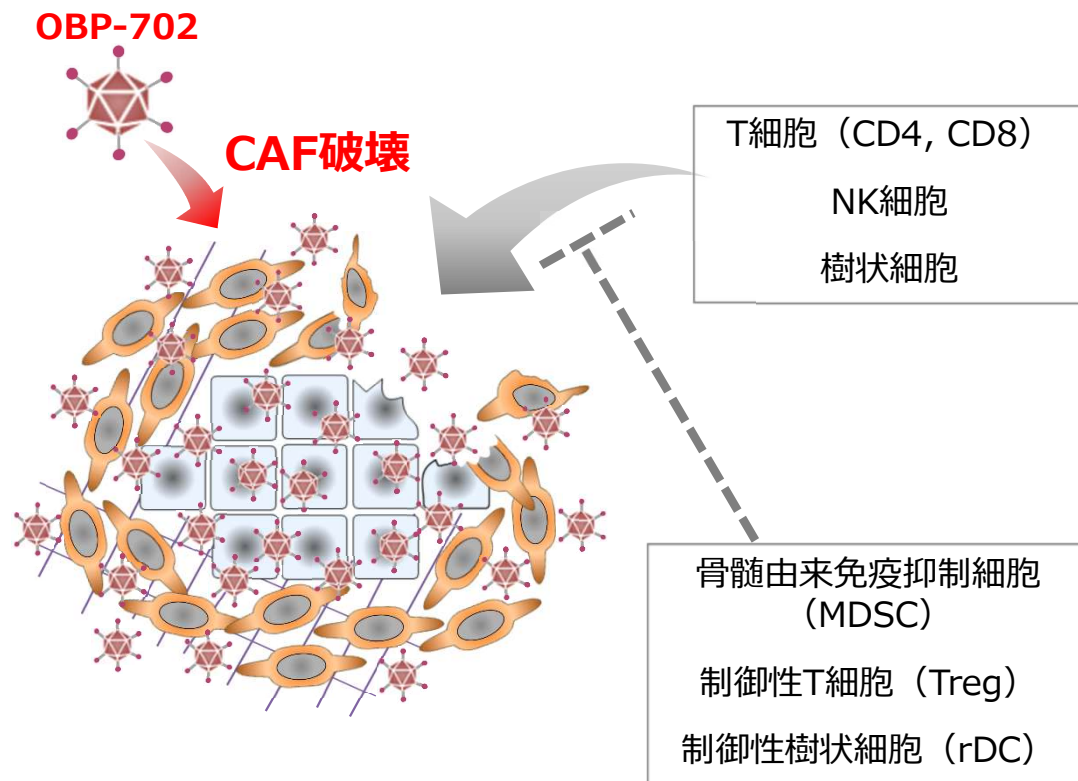
1. がん細胞の量と比較し間質細胞（がん関連線維芽細胞：CAF）の量が非常に多い（例：膵臓がん）
2. CAFが細胞外基質を生産 ⇒ がん細胞の硬質化により血管が圧迫され抗がん剤の効率的な浸透を阻害
3. 血管圧迫によりがん組織の低酸素状態誘導 ⇒ がんの悪性度上昇

CAFの少ないがん
⇒ 抗がん剤浸透

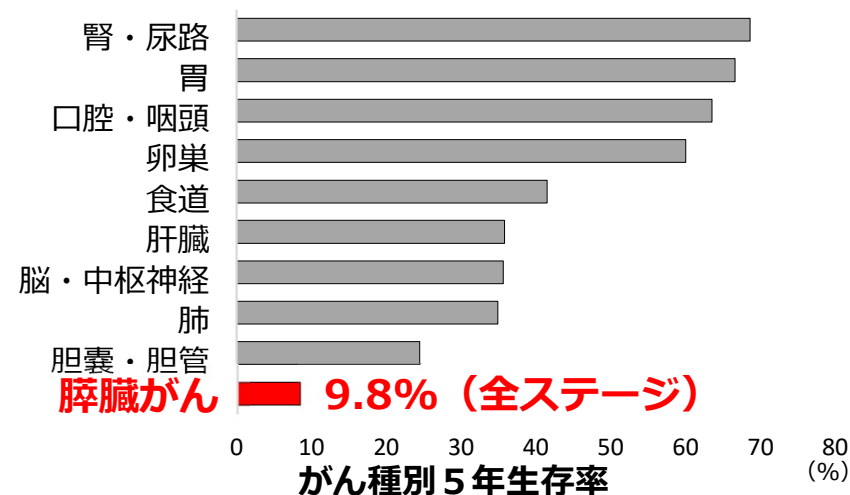
CAFの**多い**がん（難治性がん）
⇒ 抗がん剤**抵抗**



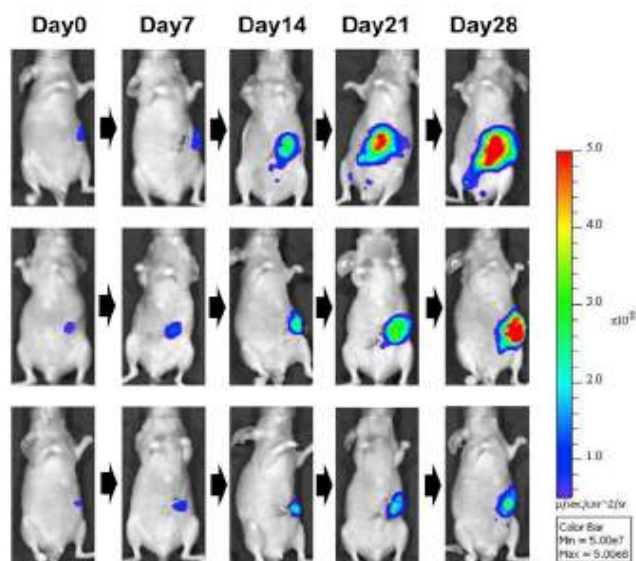
OBP-702が間質細胞（CAF）を破壊することによって
直接的および間接的にがん免疫を活性化



1. 90%~95%が膵管がん
2. 見つかりにくく、診断のための組織採取が困難
3. 早期に浸潤・転移しやすく、約7割が手術不可
4. 世界の患者数：約50万人

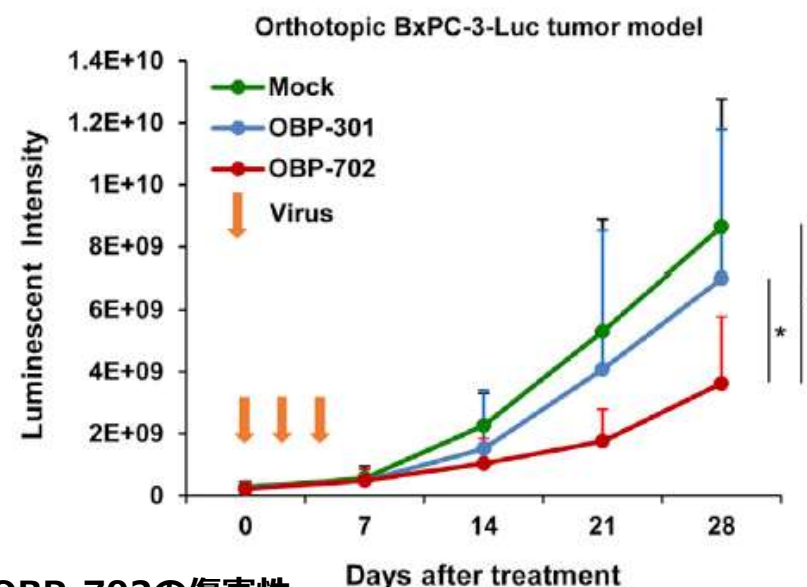


※出所：国立がん研究センター がん情報サービス等を基に当社作成



同所性移植モデルにおけるOBP-702の傷害性

※出所: <https://doi.org/10.1016/j.omto.2020.03.016>を基に当社作成

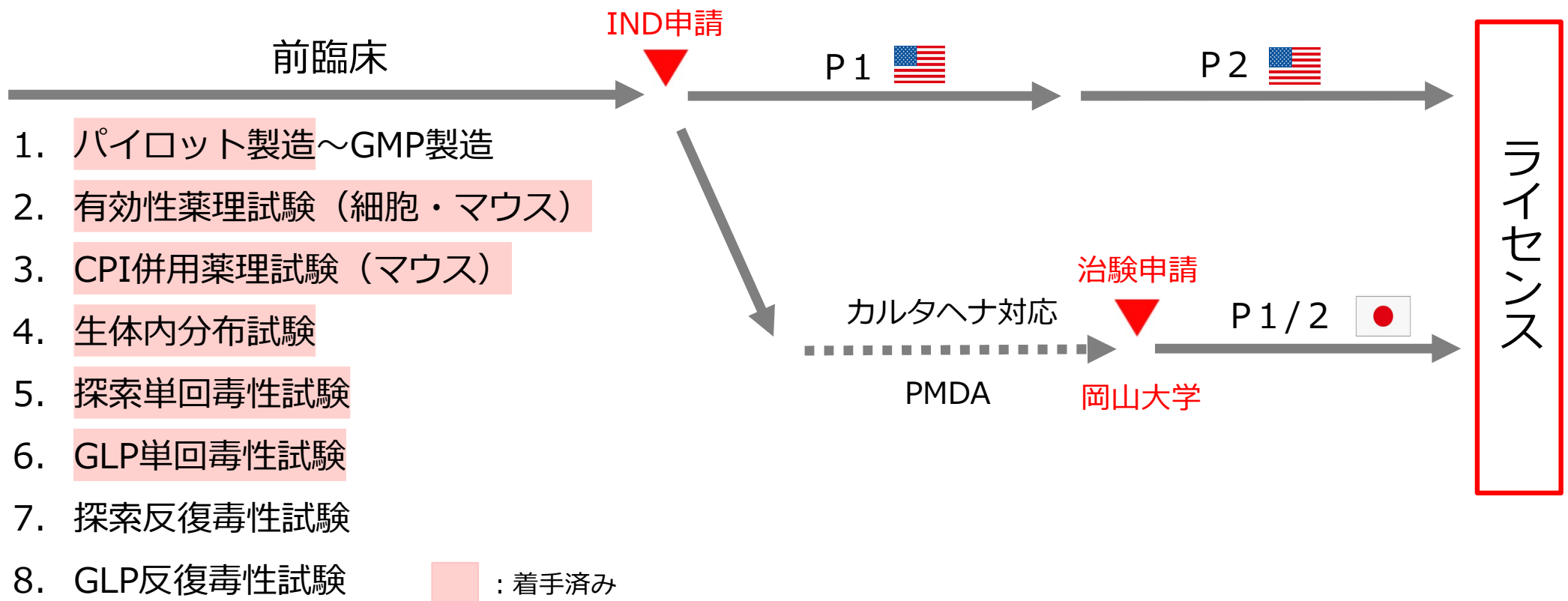


Phase 1 : First In human試験

1. 各種固形がん
2. PD-(L)1との併用

• Phase 1 開始時から、免疫チェックポイント阻害剤等のがん免疫治療薬との併用を検討することがよいと考える

*Dr. Kevin Harrington
Royal College Of Physicians*



膵臓がん

- ・ 切除不能膵臓がん患者の生存期間は8～10カ月程度であり、OBP-702の投与により生存期間の延長を目指す

藤原 俊義 教授
岡山大学大学院 消化器外科学

骨肉腫（サルコーマ）

- ・ 平滑筋肉腫がよい適応だ
- ・ 前臨床試験の成績は非常に説得力がある
- ・ 骨肉腫はアンメットメディカルニーズが高い

Sandra D'Angelo, MD
Memorial Sloan Kettering Cancer Center

眼性黒色腫

- ・ p53遺伝子の変異が多いがんで肝臓転移が多い
- ・ CPIのレスポンスはわずか5%
- ・ OBP-702の良い対象だ

Richard, D Carvajal, MD
Columbia University

直腸がん

- ・ ネオアジュバンドで奏効率が35%、CRTで60～70%
- ・ OBP-702+CRTが最もよく、局所のコントロールに期待したい
- ・ 手術は少なくすべき ⇒ 切らずにがんを治す治療にしたい

Christopher Crane, MD
Memorial Sloan Kettering Cancer Center

テロメスキャン (OBP-401)

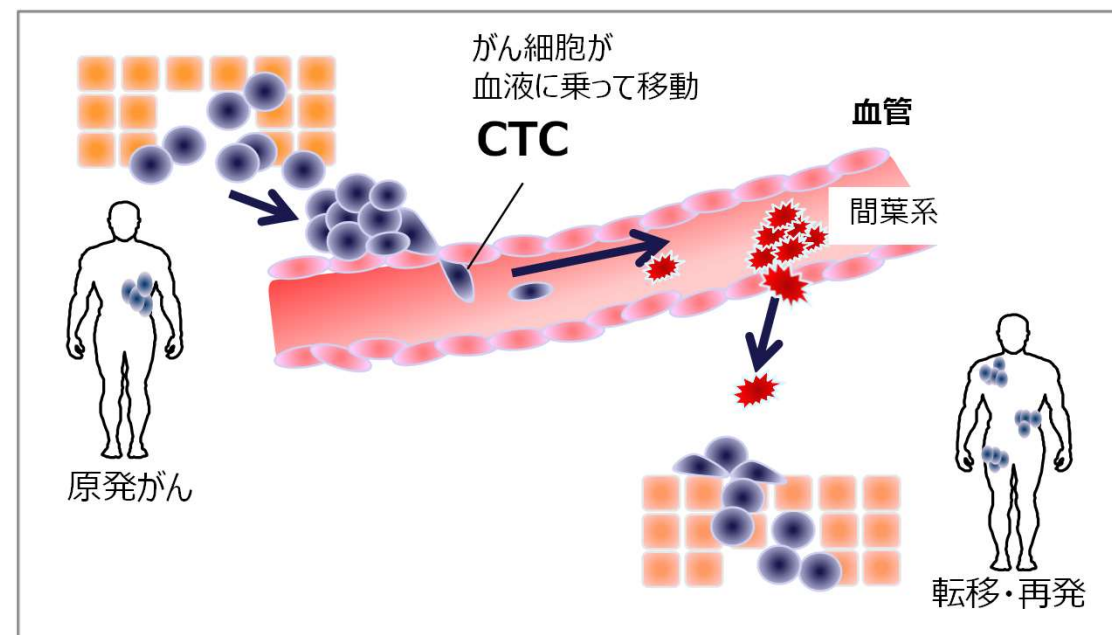
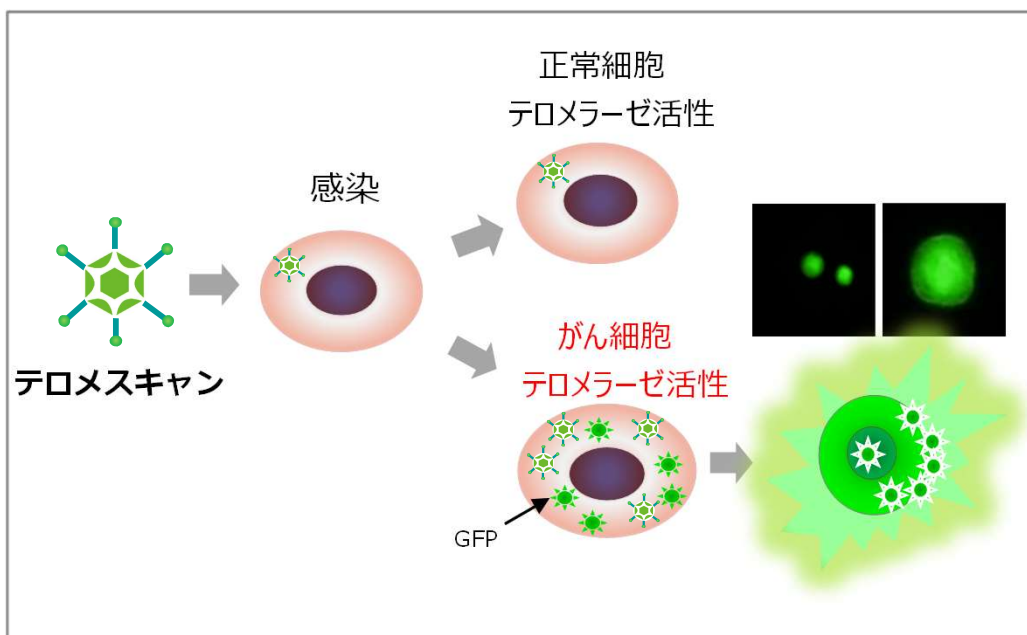
“がん治療の選択肢を増やす”

現在のがん検査の課題

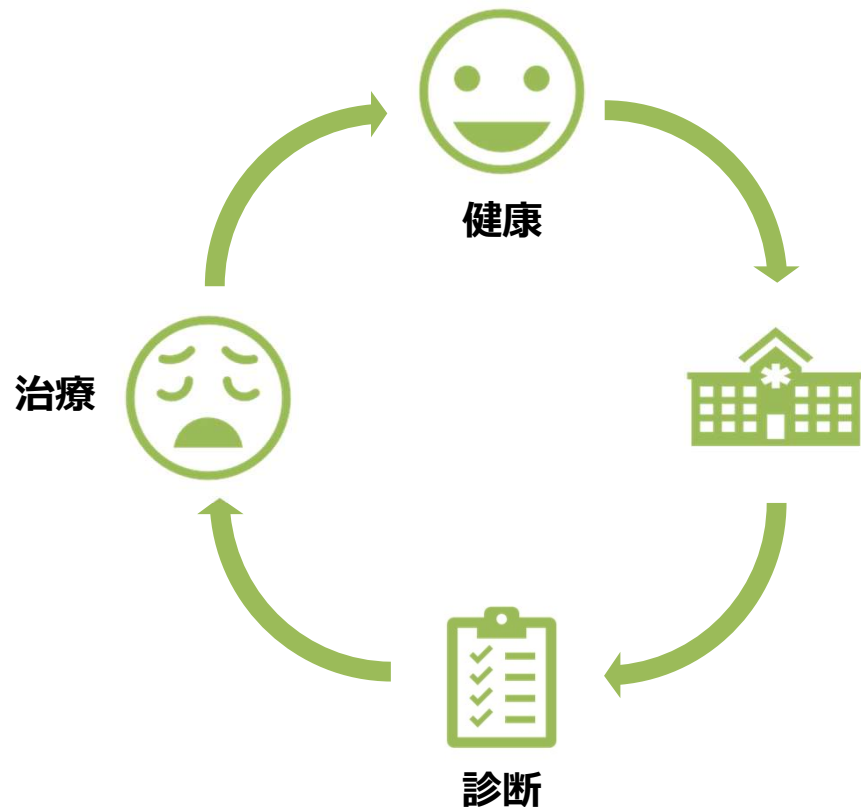
1. 既存のがん検査法である遺伝子検査やがんマーカーは感度が低い
2. より低侵襲で高感度のがん検査が求められている

テロメスキャンの特長

1. テロメライシンと同様に、テロメラーゼ活性の高いがん細胞で増殖する
2. 血中を循環する**生きているがん細胞 (CTC)** を捉えることが可能
3. 採血のみで検査が可能



悪性度の高いがん細胞をウイルスの力で高感度に検出し、 治療可能な段階でのがんの発見を実現

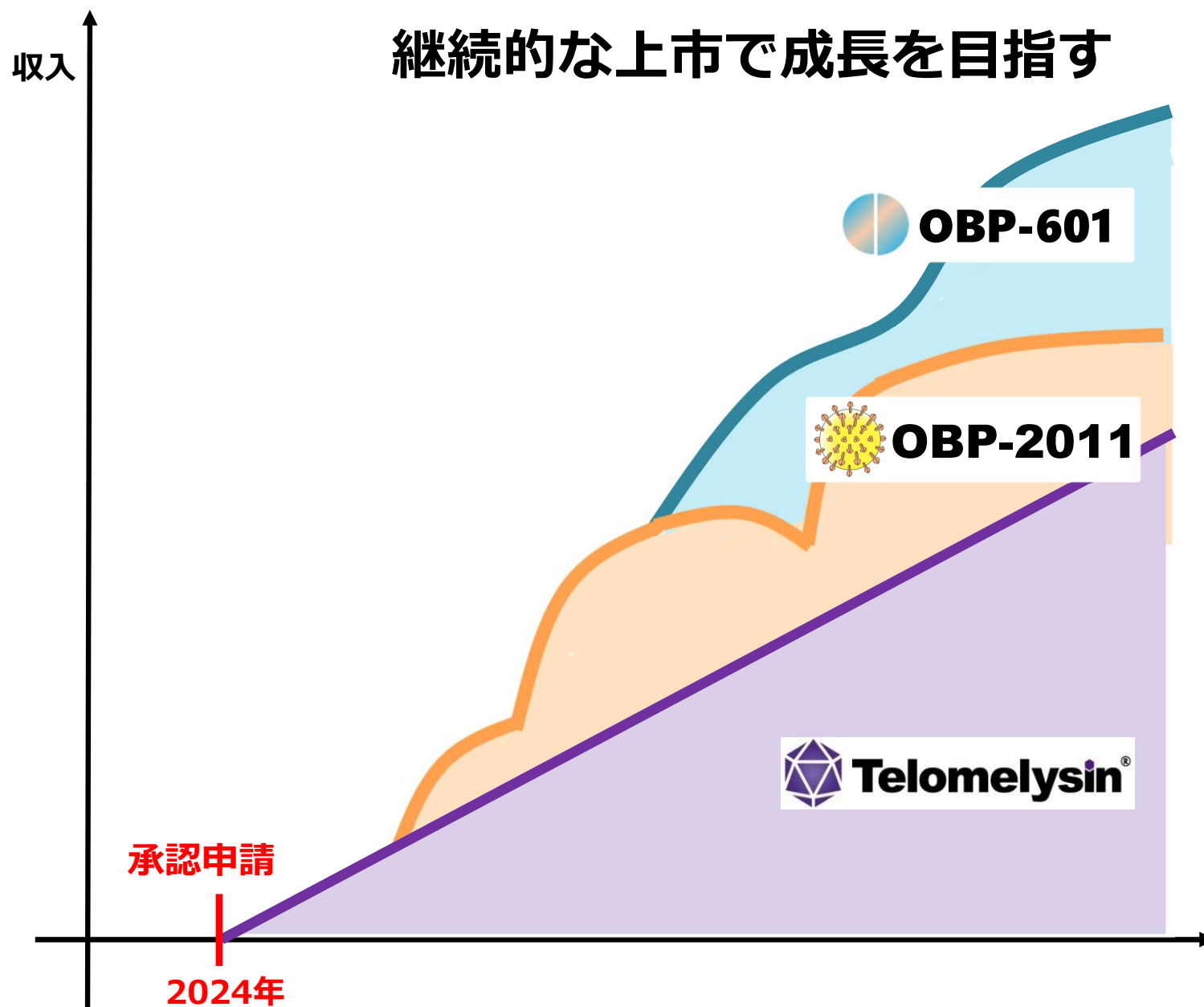


TCAS検査センター

1. 血液検体を受け入れ、がん細胞の特異的シグナルに依存した細胞を検出
2. 検査キットを用いることで標準化された検査センター、病院で検査可能
3. 自動化システムにより、ハイスループット検出システムを構築
4. 2025年から各医療機関へ展開

今後の見通し

		資金負担額
OBP-301 『suratadenoturev』	<ol style="list-style-type: none"> 1. 国内放射線併用Phase 2 の症例組入れ完了 (2022年末) 2. 商用GMP製造法・品質管理法の確立 (2023年) 3. 再ライセンス実施 (2022-2023年) 	14～15億円
OBP-2011	<ol style="list-style-type: none"> 1. 前臨床試験の完了 (2022年 3 Q) 2. GMP製剤製造の完了 (2022年 3 Q) 3. 動物実験でのPOCの取得 (2022年 3 Q) 4. 治験届 (2022年 4 Q～) 5. Phase 1 の開始 (2023年) 	5～6億円
OBP-601	<ol style="list-style-type: none"> 1. Phase 2 の目標症例組入れ完了 (二重盲検試験のため、中間解析は行われぬ) 	-
OBP-702	<ol style="list-style-type: none"> 1. 前臨床・GMP製造～Phase 1 開始準備 	精査中
OBP-401	<ol style="list-style-type: none"> 1. AIを用いたCTC検査プラットフォーム確立 	～1億円



将来、

 **OBP-702**

 TelomeScan®

も収入に貢献する

リスク情報

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>ライセンス契約は、研究開発データに基づき締結されます。そのため、有効な治療薬が無い感染症等のパンデミックが発生し、医療現場が逼迫した場合など研究開発に遅れが生じた場合には、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中 ～ 高	<p>治験担当医との積極的な情報交換や医療関係者を集めた研究会の開催により、研究開発の遅れを最小限に留める様に努めています。また、外部委託先との契約を見直すことで、製造工程の遅延圧縮に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>医薬品等の研究開発費は多額であり、その期間も長期間にわたります。また、安全性・有効性の評価に問題が生じた場合は、開発の大幅な遅延や開発中止の可能性があります。医薬品等の開発の遅れや中止は、当社の業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	高	<p>安全性や有効性の評価を確実なものにするため、「医学アドバイザーやKOL等からの適正な評価」、「前臨床段階における徹底的な安全性や有効性の検証」、「PMDAやFDA等の監督官庁との事前ミーティング」などを通じて、可能な限り早期にパイプラインの安全性や有効性のデータ収集に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社のライセンスビジネスは、知的財産権が根幹になります。現時点で、知的財産権に関する係争や他社特許への抵触は生じていませんが、そのような事態が生じた場合には当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	低	中 ～ 高	<p>社内に知的財産権の専任担当者を設置した上で、顧問弁護士や弁理士との連携をもって可能な限りリスクの発生を軽減する体制を築いています。また、特許譲受契約やライセンス契約により、正当に事業を展開できる体制を築いています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>当社は、ライセンス契約に基づき、契約先の開発進展に連動して収入を得ます。また、ライセンス契約は、独占的な契約になる可能性があります。そのため、ライセンス契約先の戦略変更は、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中 ～ 高	<p>ライセンス契約前には候補企業の戦略やニーズを考慮し、ライセンス契約先を選定しています。また、ライセンス契約締結後は、ライセンス契約先とステアリング・コミッティーを開催しコミュニケーションを活発にすることで、ライセンス契約先の開発計画の把握に努めています。ライセンス契約が解約になるリスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社の将来収入の中心を販売ロイヤリティ収入が占めることを想定していますが、同収入は上市後に設定する薬価に依存します。そのため、上市後の薬価設定は、将来の当社業績に影響を与える可能性があります。なお、現時点で当社は上市した製品を保有していません。</p>	中 ～ 高	中	<p>ライセンス契約先とのステアリング・コミッティーの開催を通じて、薬価交渉に必要な情報の提供に努めていきます。また、常にバックアップパイプラインを確保することで、単一のパイプラインの薬価動向に依存しない体制を築いています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社のパイプラインは、他社の競合品と異なる適応を目標にして差別化を図っていますが、競合や技術革新により差別化を維持できない場合、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中 ～ 高	中	<p>常に最新の技術情報の収集・集積に努めると共に、新規パイプラインの拡充に努めることで、差別化の維持を図っています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。また、開発スピードの向上を図り、ファースト・イン・クラスの取得を目指します。</p>

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>当社の事業は、創業者である浦田泰生の製薬会社での経験・知識に基づく研究開発や事業開発戦略に依存しています。企業理念や経営戦略の浸透、後継者育成によりリスク分散に努めていますが、円滑な事業承継が出来ない場合には、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>創業者自ら現場に脚を運び、直接コミュニケーションを取ることで、企業理念や経営戦略の浸透に努めています。また、プロジェクトリーダーを任命し、積極的な人材育成に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社は小規模組織であり、社内における管理体制もこの規模に応じたものになっています。当社は業務上必要な人員の増員・育成等を図っていく方針です。しかし、人材流出が生じ代替要員の不在等の問題が生じた場合には、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>役職員個々の自発的な成長こそが当社成長を支える要素です。その実現のため、人材の採用・育成を積極的に推進すると共に、社内外ネットワークを活用し、確かな技術・能力・成長意欲のある人材採用を行います。更に、OJTや各種研修プログラムによる人材育成を行うことで、陣容の充実を図ります。</p>
<p>当社は統括的なプロジェクトマネジメント能力を有する人材を重点的に確保し、将来当社を担う人材の育成に注力しています。しかし、人材育成が円滑に進まない場合や各部門で中心的な役割を担う特定の従業員が万一社外に流出した場合は、当社の業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>社内外での研修実施に努めると共に、譲渡制限付株式やストックオプションなどのインセンティブ制度を導入して、人材の定着に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>


その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

資料中の将来に関する一切の記述内容は、現時点で入手可能な情報に基づく当社の判断によるものですが、既知・未知のリスクや不確実な要素が含まれています。さまざまな要因の変化により、実際の結果は、これら記述内容と大きく異なる可能性があることをご承知おきください。

リスクや不確実性には、経済情勢の悪化、為替レートの変動、法律・行政制度の変化、新製品の開発中止や上市の遅延、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社既存及び新製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的所有権に対する侵害、重大な訴訟における不当な結果等がありますが、これらに限定されるものではありません。

医薬品（開発中のものも含む）に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

株主・取引先・臨床現場及びアカデミアへのお問い合わせは、ご遠慮ください。また、資料の転載等は、禁止とさせていただきます。

A detailed microscopic image of a cell, likely a cancer cell, showing its complex internal structure and surface receptors. The cell is rendered in shades of blue and purple against a dark background.

Powering Future Oncotherapy

— Oncolys BioPharma

“Powering Future Oncotherapy”

未来のがん治療にパワーを！