

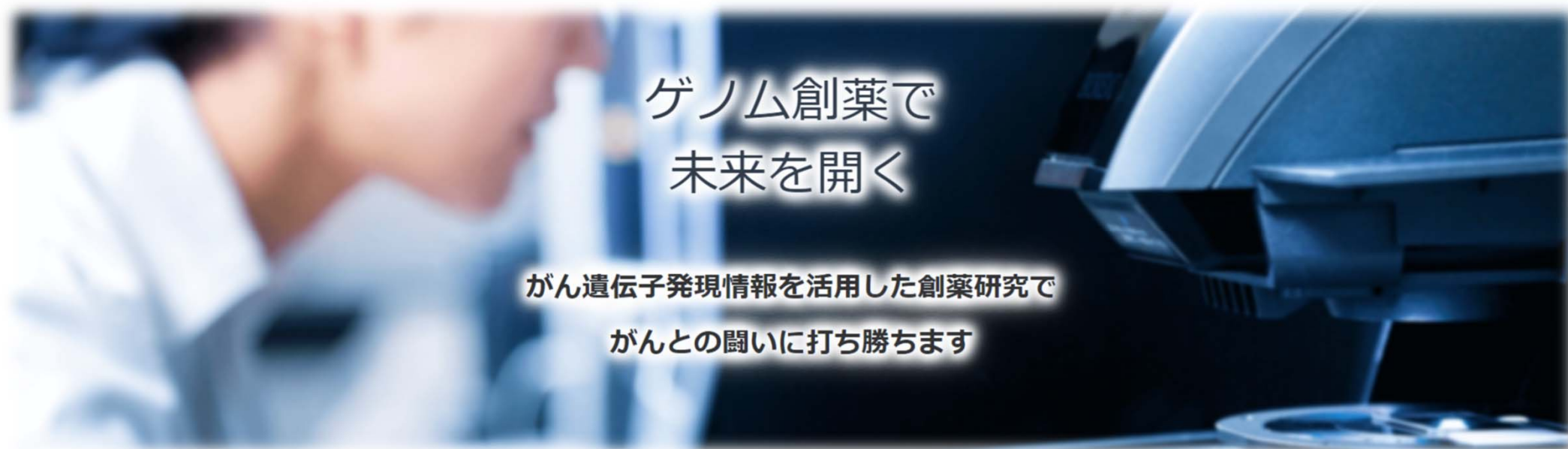
オンコセラピー・サイエンス株式会社

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

2023年6月30日



会社名

オンコセラピー・サイエンス株式会社
神奈川県川崎市川崎区東田町 1 - 2

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、敢然とがんに向かい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

※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。

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)

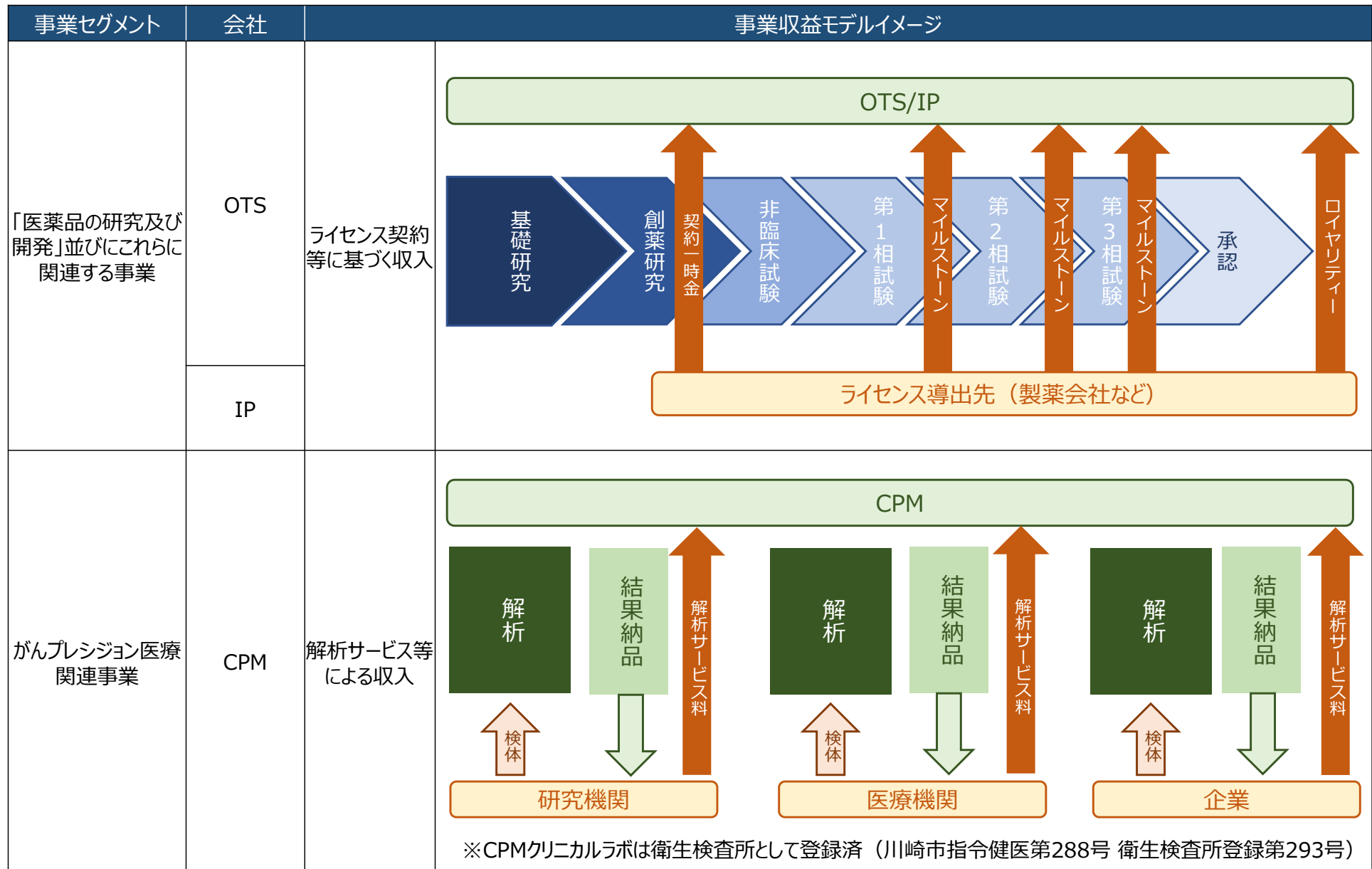
イムナス・ファーマ株式会社(略称IP)

2004年8月～

抗体医薬の商業化

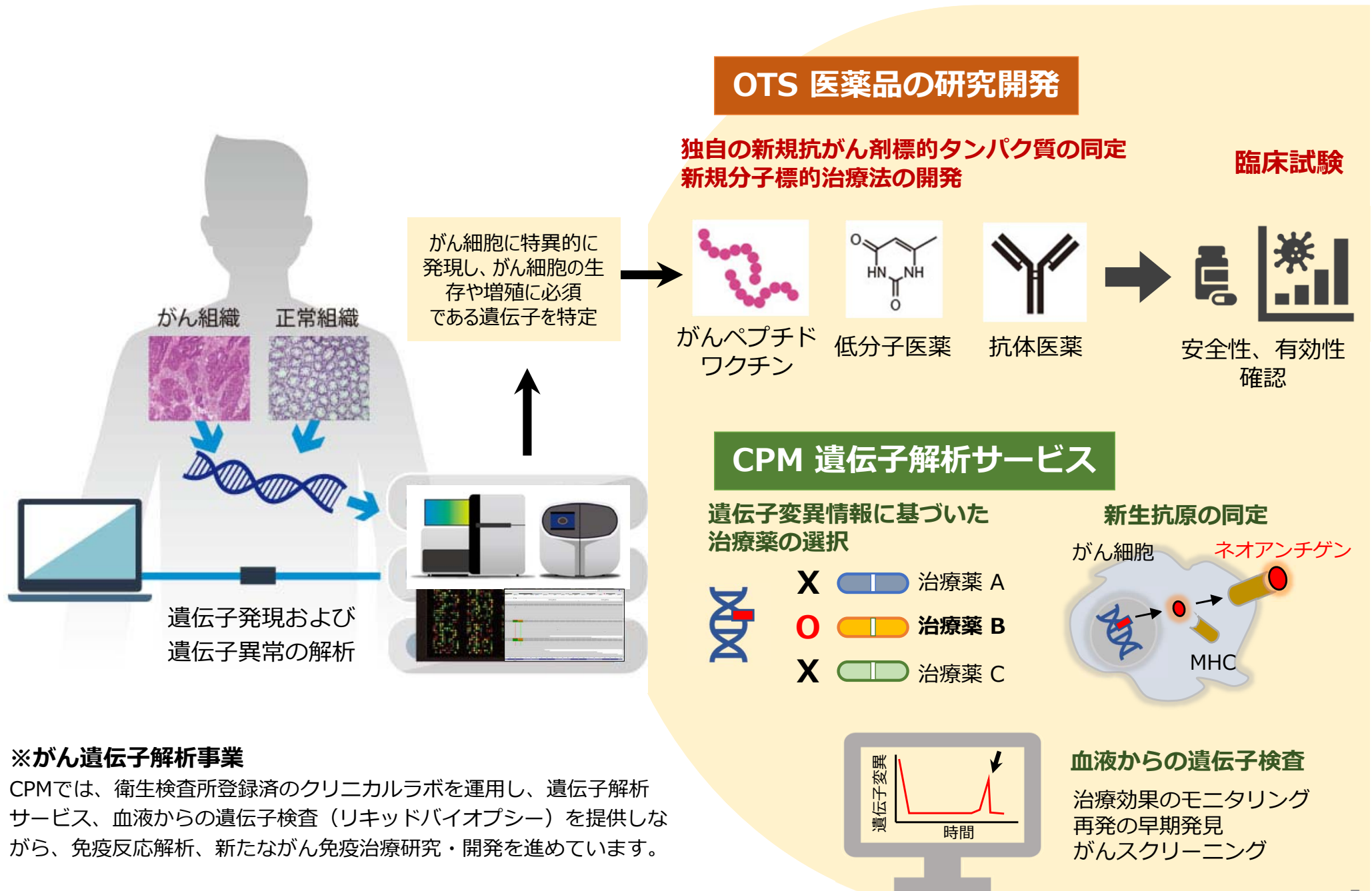
1. 会社概要

(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～主要ビジネスモデル～



※がん遺伝子解析事業

CPMでは、衛生検査所登録済のクリニカルラボを運用し、遺伝子解析サービス、血液からの遺伝子検査（リキッドバイオプシー）を提供しながら、免疫反応解析、新たながん免疫治療研究・開発を進めています。

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～

有効な治療法のないがん患者さんへ
副作用の少ない効果的な治療薬・治療法を提供する



適切な人に
適切なタイミングで
適切な治療法を提供する

革新的な新規がん治療薬のニーズ



候補品導出

ライセンス導出先
(製薬会社など)

契約一時金
マイルストーン
ロイヤリティー

OTS
医薬品
研究開発

新たな治療薬の開発

最先端技術
企業価値向上
事業提携機会

がん治療の課題

CPM
遺伝子
解析

がん個別化医療の市場拡大



解析結果納品

研究機関
医療機関

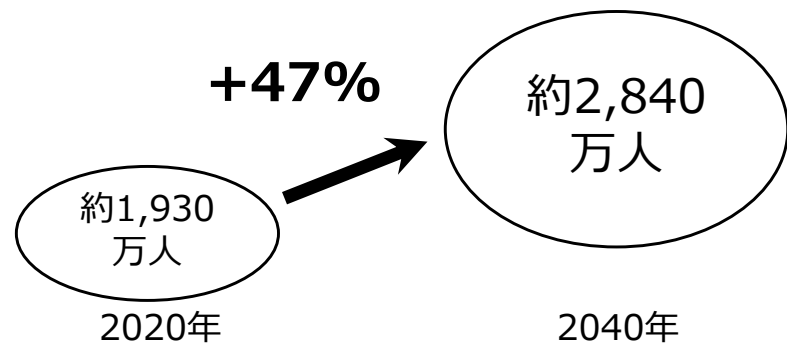
解析サービス等
による収入

安定的な収益の確保
遺伝子解析ノウハウの蓄積

1. 会社概要

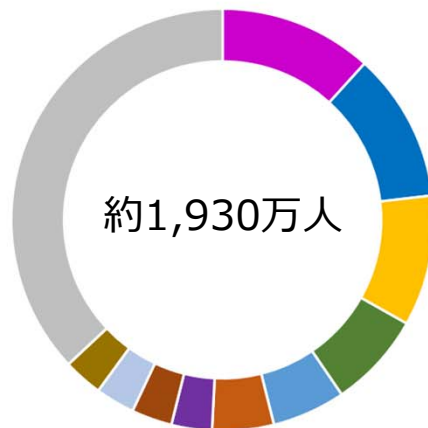
(2) 世界的ながん治療薬開発の動向

世界におけるがん患者数

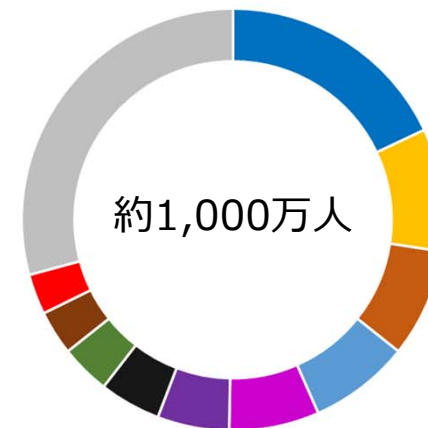


※新たに診断されたがん罹患の数

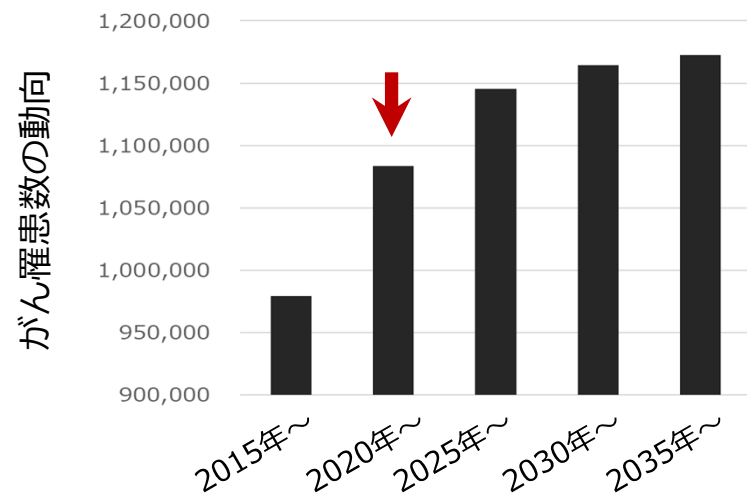
世界のがん罹患数※



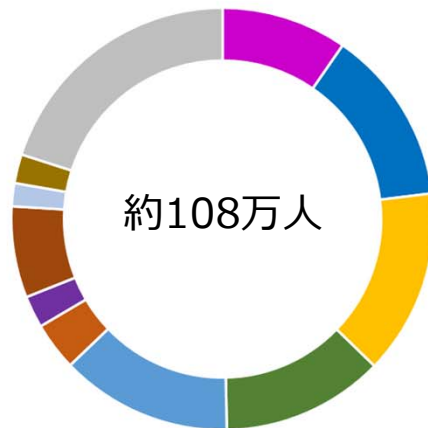
世界のがん死亡数



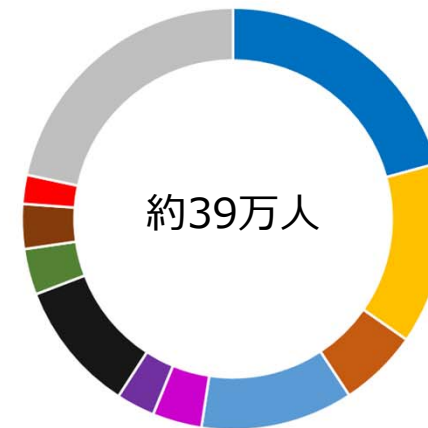
国内のがん患者数



国内のがん罹患数※



国内のがん死亡数



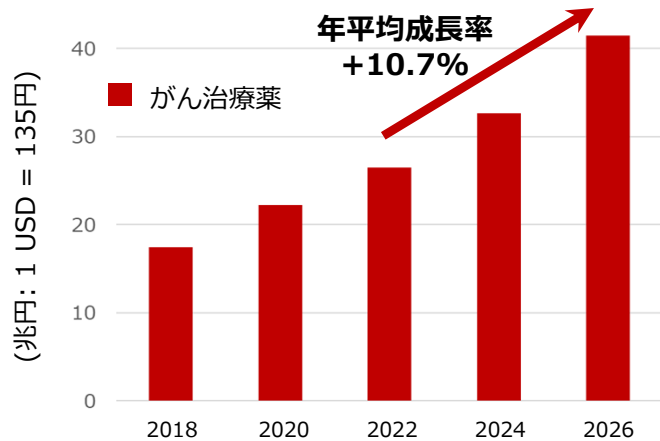
乳房	前立腺	食道	膀胱	その他
肺	胃	子宮	膵臓	
大腸	肝臓	甲状腺	白血病	

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)



新型コロナウイルス感染症(COVID-19)パンデミックの影響

- 患者さんの受診が20-29%減少し(2021年11月時点)、適時に診断・治療を受けなかった患者さんが多かったと予想される。
- 特に、がん手術又は化学治療の遅延が多くなり、経口用抗がん剤処方への切り替えが増加した。
- 医療機関でのがん患者さん診察率が戻りつつある中で、転移性・進行性がんの発見が多くなっている。

出典: IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2022

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

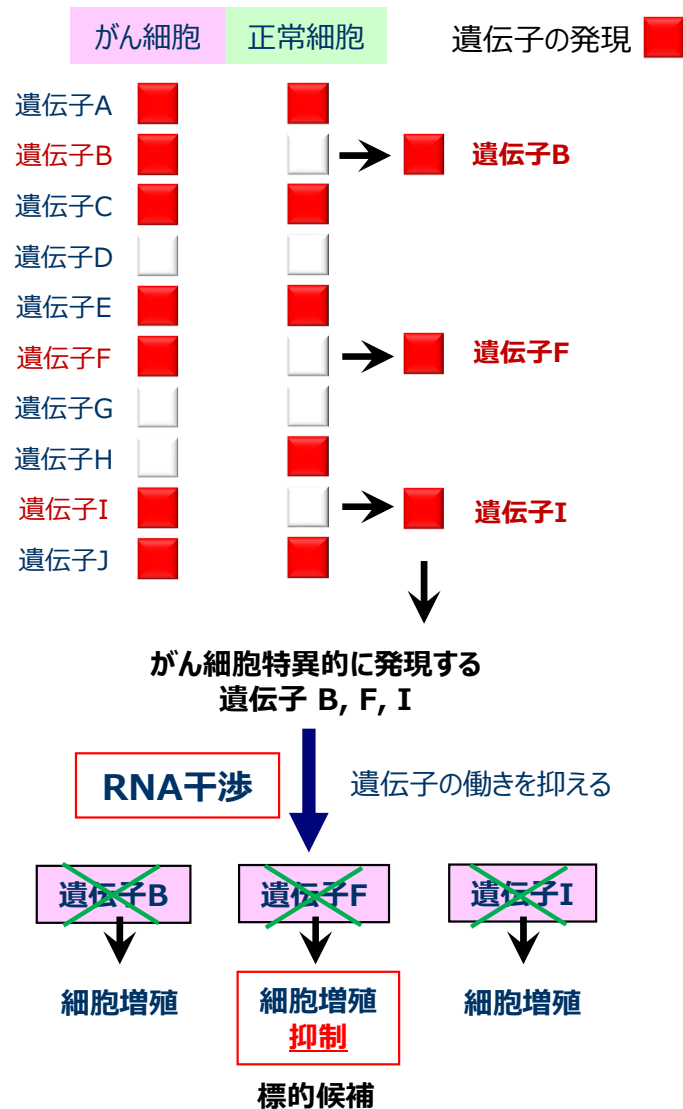
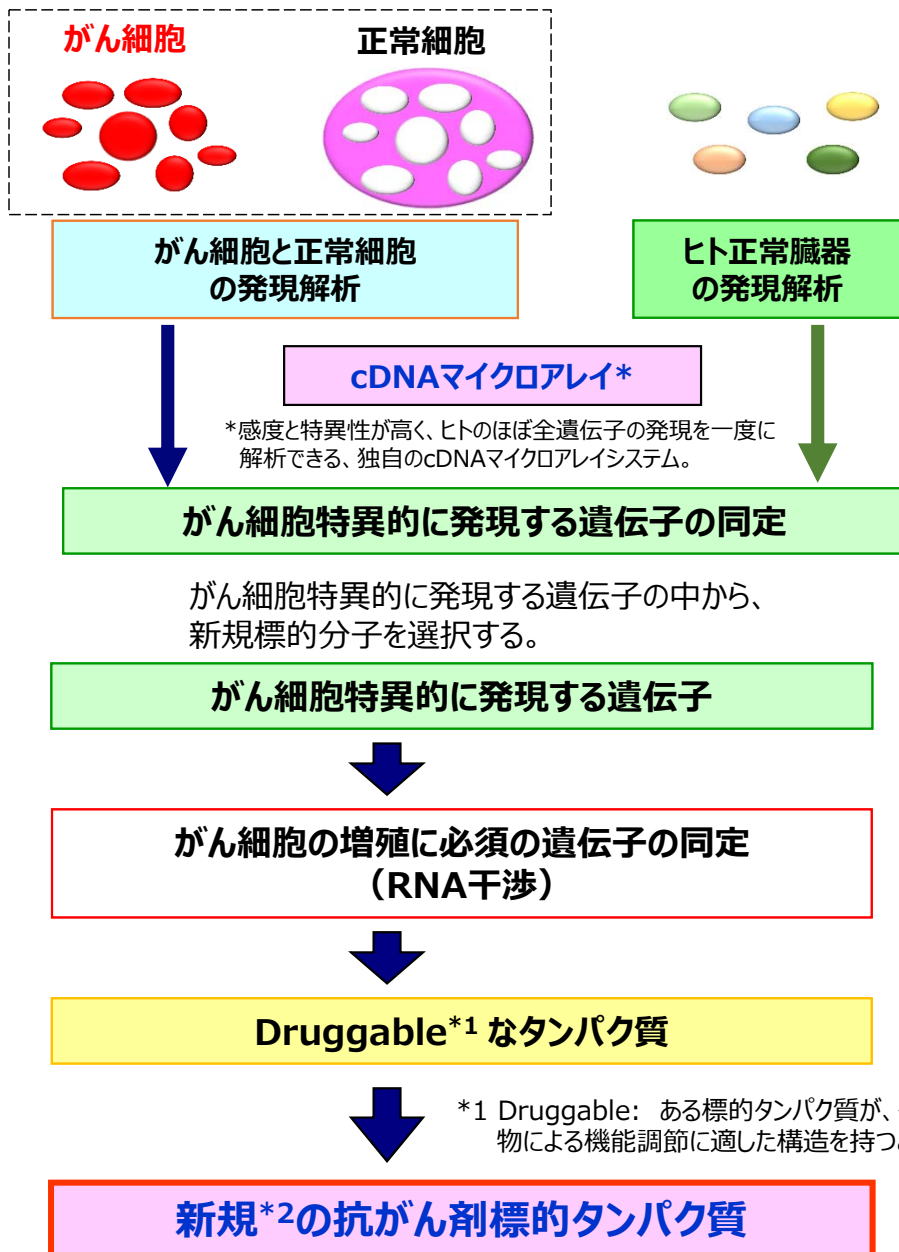
※FDA (米国食品医薬品局) プログラム

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

- ・ 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

新規の抗がん剤標的タンパク質

	がんペプチドワクチン	抗体医薬	低分子医薬
特徴	患者さん自身の免疫系に働きかけ、がん細胞を攻撃する能力を誘導する。	標的タンパク質に結合して、他のタンパク質との相互作用を阻害したり、標的発現細胞を傷害したりする。	標的タンパク質に結合して、酵素としての働きを弱めたり、他の分子との相互作用を阻害したりする。
対象標的	高い抗原性を持ち、細胞傷害性T細胞を誘導可能なタンパク質	細胞膜上に露出するか、細胞外に分泌されるタンパク質	酵素等の、分子表面上に低分子が結合可能な部位を持つタンパク質
投与方法	注射	注射	経口等、注射以外も可能
長所	<ul style="list-style-type: none">・ がん細胞を特異的に攻撃するので、毒性・副作用が少ない。・ 患者さんが持つタンパク質の一部（ペプチド）を利用するので、迅速に研究開発を進められる。	<ul style="list-style-type: none">・ 標的への結合力が極めて強い。・ 標的への特異性が極めて高いので、標的外への作用に伴う毒性・副作用が少ない。	<ul style="list-style-type: none">・ 経口・注射等、多様な投与方法が可能なので、投与に際し患者さんへの利便性が高い。・ 化学合成のため、製造コストが安く、大量合成が可能。
短所	<ul style="list-style-type: none">・ 患者さんの免疫機能が弱っている場合、うまく働かない。	<ul style="list-style-type: none">・ 対象標的は細胞外に存在するものに限られる。・ 細胞や微生物を利用して合成するため、製造コストが高い。	<ul style="list-style-type: none">・ 標的外への作用に伴う毒性・副作用のリスクが比較的高くなる。・ 開発品獲得までの探索研究に要する期間が比較的長い。

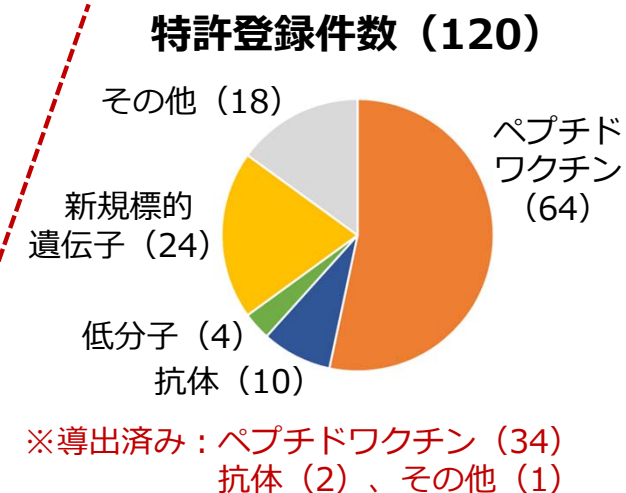
上記3つのモダリティに取り組むことにより、標的ごとに適した薬剤の開発と患者さんへの多様な選択肢の提供が可能になる

1. 会社概要

(3) 当社グループの特徴

国内バイオベンチャーとの比較

	A社	B社	C社	オンコセラピー・サイエンス
治療領域	循環器/疼痛/感染症	がん/感染症	がん/感染症/中枢	がん/(中枢)
研究開発プラットフォーム	<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 	<ul style="list-style-type: none"> ペプチドワクチン 抗体 低分子
Pipeline (開発品数) ¹⁾	8	3	8	9
特許登録件数 ²⁾	58	3	6	120
論文数 ³⁾	17	5	31	40



- ✓ 多数の特許により独自技術を効果的に権利化し、高い競争力と収益を確保
- ✓ 多数の論文発表により学術的貢献を果たし、高い技術力を証明

* 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) Phase 1~申請準備の開発プロジェクト数 (導出品を含む)

2) J-PlatPat検索結果; 日本で登録された特許件数 (2022年1月時点)

3) PubMed検索結果; 社員がAuthorに含まれる論文数 (2022年1月時点)

※2022年度、知的財産権の戦略的評価を実施し、開発品・開発候補品における主要特許に変動せず、当社グループの事業には影響がない範囲で、出願国の見直しなど実施。

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

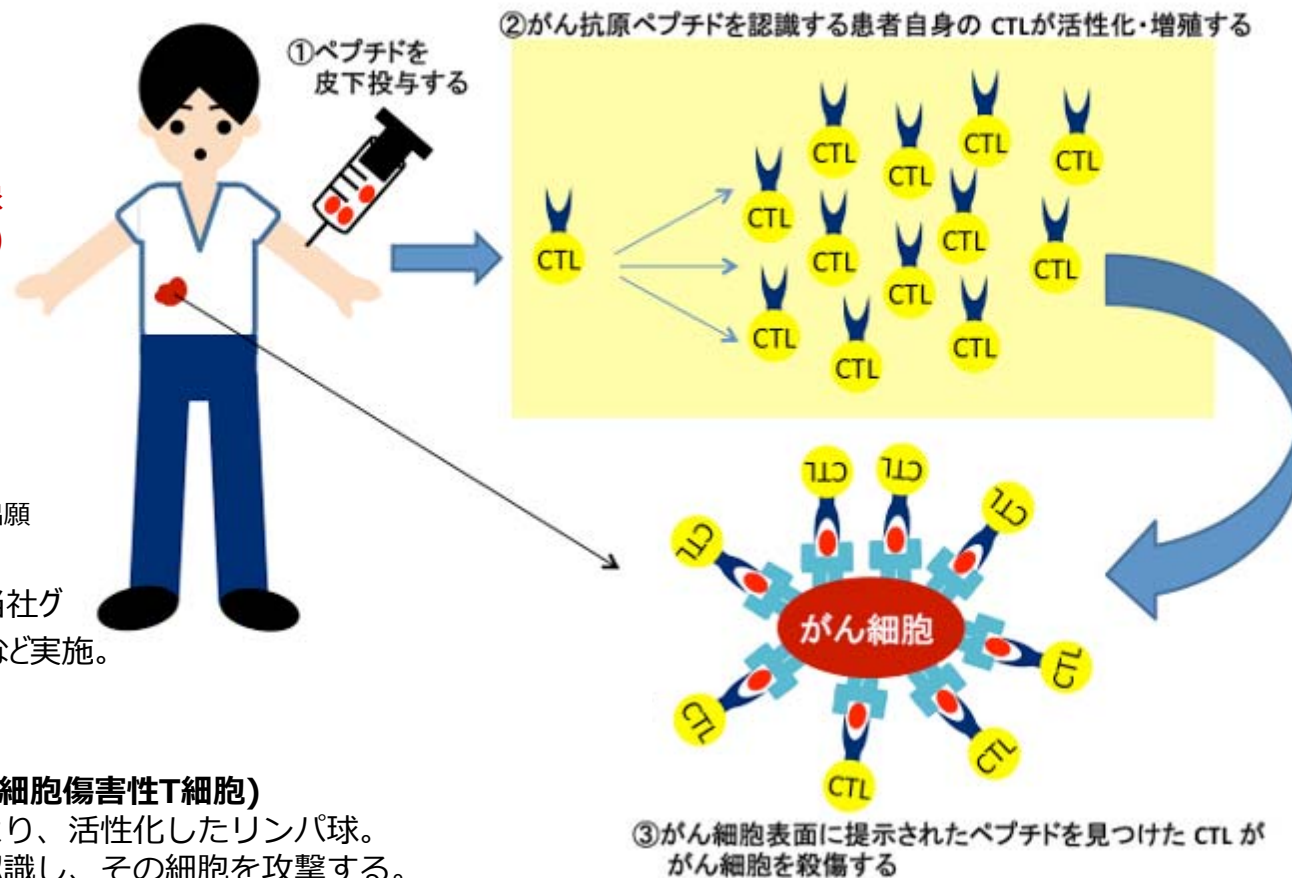
がんペプチド ワクチン

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

※2022年度、知的財産権の戦略的評価を実施し、当社グループの事業には影響がない範囲で、出願国の見直しなど実施。



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(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

がんプレジジョン医療に向けてのCPM社のアプローチ

(1) リキッドバイオプシー事業（診断）

血液サンプル等、体液を用いてDNA（セルフリーDNA）を解析することにより、がん組織の遺伝子変異情報を知ることができる。患者さんに大きな負担をかけることなく、繰り返しがんの検査を行うことが可能な検査方法。（がんの早期発見および再発モニタリング）

(2) クリニカルシーケンス事業（薬剤および治療法の選択）

全エクソーム解析・RNAシーケンスにより異常のある遺伝子や発現量などを調べて、患者さんのがん遺伝子情報に沿った適切な分子標的薬の選択に貢献する。
更にネオアンチゲン解析により個別化免疫療法に寄与できる。
分子標的薬の選択およびネオアンチゲン解析については、腫瘍組織が得られない場合でも、血液を用いたリキッドバイオプシーによって可能になっている。

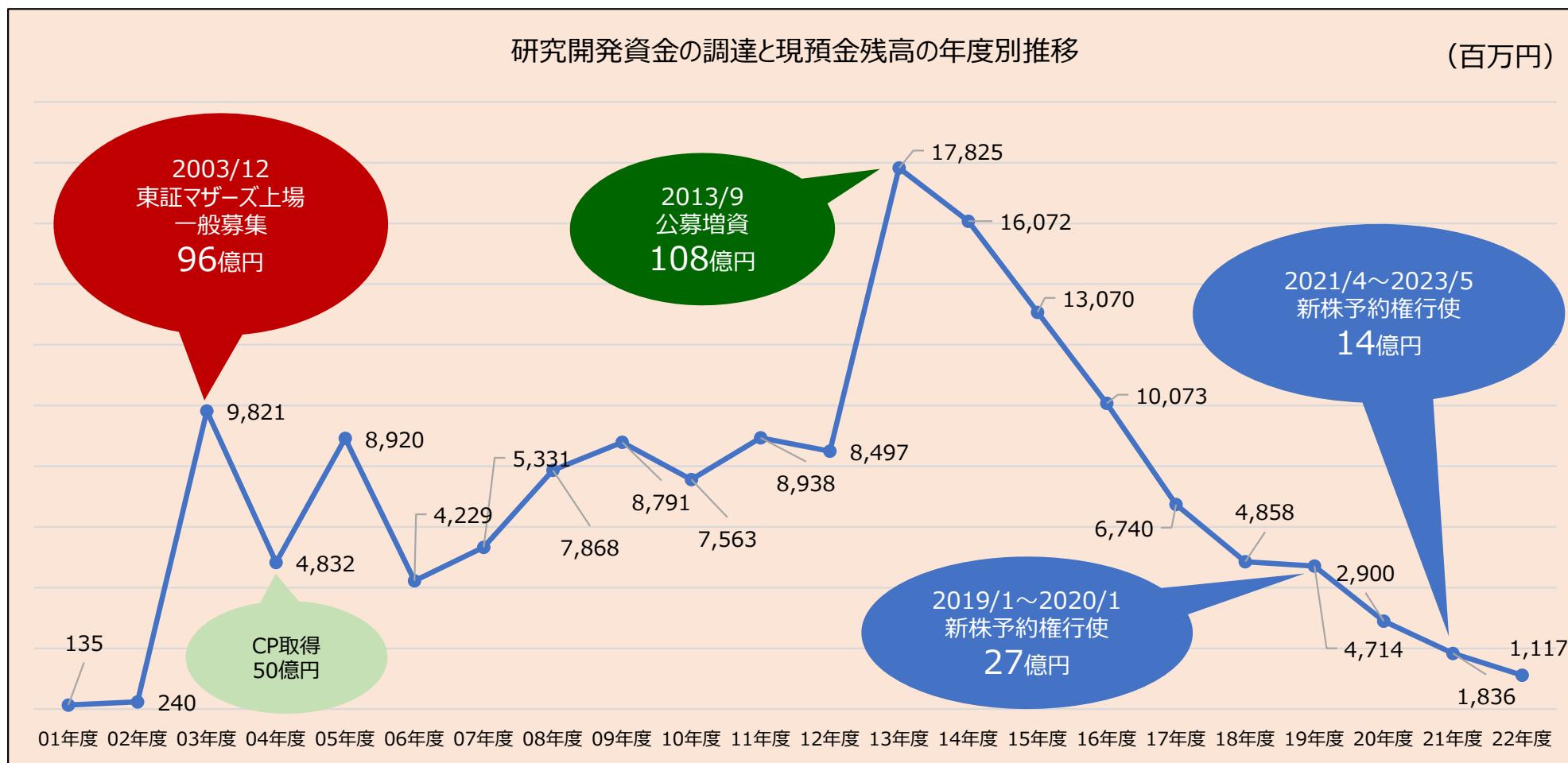
(3) 個別化免疫療法（ネオアンチゲンワクチン療法等）

ネオアンチゲンは、がん細胞に生じた体細胞変異に由来する新生抗原で、がん免疫療法の理想的な標的と考えられている。分子標的治療薬の恩恵にあずかれない患者さんにとっても、このネオアンチゲンワクチン療法は有効な治療法となる。
TCR遺伝子導入T細胞療法は、ネオアンチゲンワクチン療法に続き研究開発を推進する。

1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

資金調達状況



※2023年3月24日に、第三者割当による新株式並びに第 34 回新株予約権及び第 35 回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行に関するお知らせを公表しております。

https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/03/230324_01.pdf

※2023年4月10日に、行使価額修正条項付第 31 回新株予約権の取得及び消却に関するお知らせを公表しております。

https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/04/230410_01.pdf

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

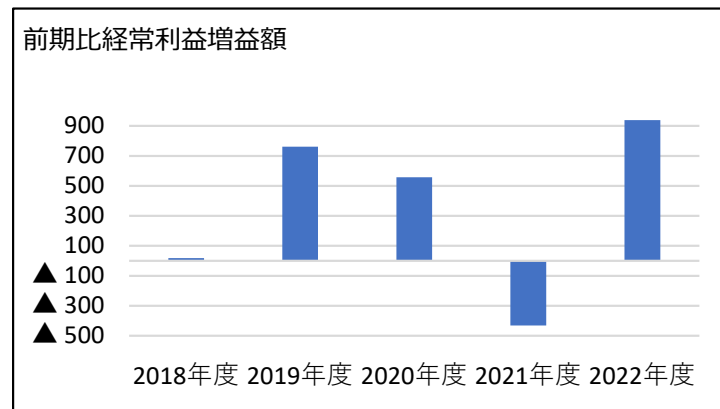
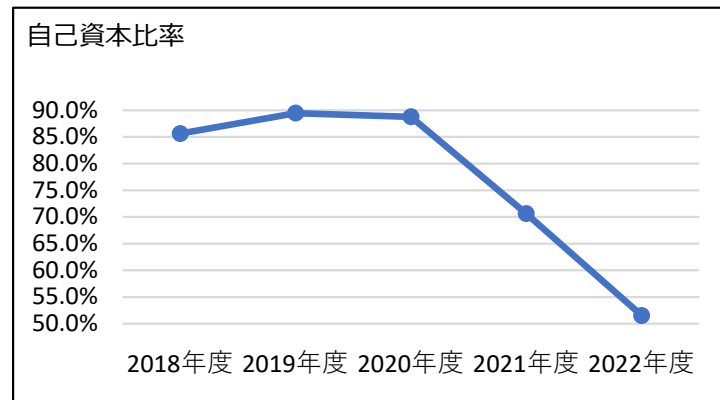
- ・資産の約7割は研究開発の原資である現預金残高
- ・相対するのは剰余金等の純資産

連結貸借対照表 (2023年3月期)

資産	負債・純資産
合計 1,511百万円 現預金, 1,117 (前期比▲719) その他流動資産, 305 固定資産, 89	負債, 656 (前期比▲48) ・流動負債 609 未払金 248 契約負債 146 資本金, 789 (前期比-) その他純資産, 66 (前期比▲1, 125) ・資本剰余金 24,793 ・利益剰余金 ▲23,686 (百万円)

<前期比増減トピックス>

当期損失による減少



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新株式並びに第34回新株予約権及び第35回新株予約権の発行

		新株式	第34回新株予約権	第35回新株予約権						
割当日	新株予約権数	—	割当日2023年4月10日 新株予約権数230,000個	割当日2023年4月10日 新株予約権数150,000個						
発行価額		1株当たり45円	新株予約権1個当たり20円	新株予約権1個当たり9円						
発行時の潜在株式数		—	23,000,000株	15,000,000株						
調達予定額	行使期間	0.9億円 (2,000,000株)	総額25.5億 行使期間2023年4月11日～2025年4月10日							
行使価額及び 行使価額の修正条件		—	当初行使価額 第34回50円 / 第35回93円 上限行使価額 なし / 下限行使価額 25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）の属する週の前週の最終取引日の東証の普通取引の終値の90%に相当する金額（小数点第1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Long Corridor Alpha Opportunities Master Fund及びMAP246 Segregated Portfolio）								
資金の具体的な用途		<p>調達計画額：26.2億円</p> <table border="1"><tr><td>①創薬医薬研究領域における研究開発費</td><td>6.8</td></tr><tr><td>②医薬開発領域における研究開発費</td><td>5.1</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>14.2</td></tr></table>			①創薬医薬研究領域における研究開発費	6.8	②医薬開発領域における研究開発費	5.1	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	14.2
①創薬医薬研究領域における研究開発費	6.8									
②医薬開発領域における研究開発費	5.1									
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	14.2									

※2023/3/24第三者割当てによる25.5億円（概算/行使価格修正前）の資金調達を公表済
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/03/230324_01.pdf

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

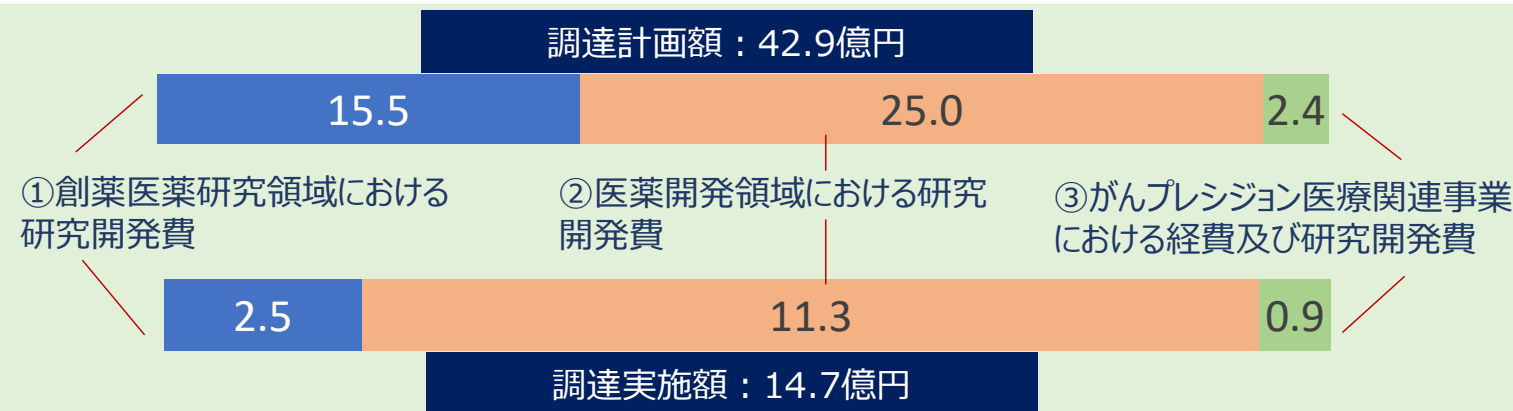
行使価額及び行使価額の修正条件

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）

資金の具体的な用途



行使期間満了

行使期間満了、2023年5月1日付で、残存する本新株予約権の取得・消却済み
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/04/230410_01.pdf

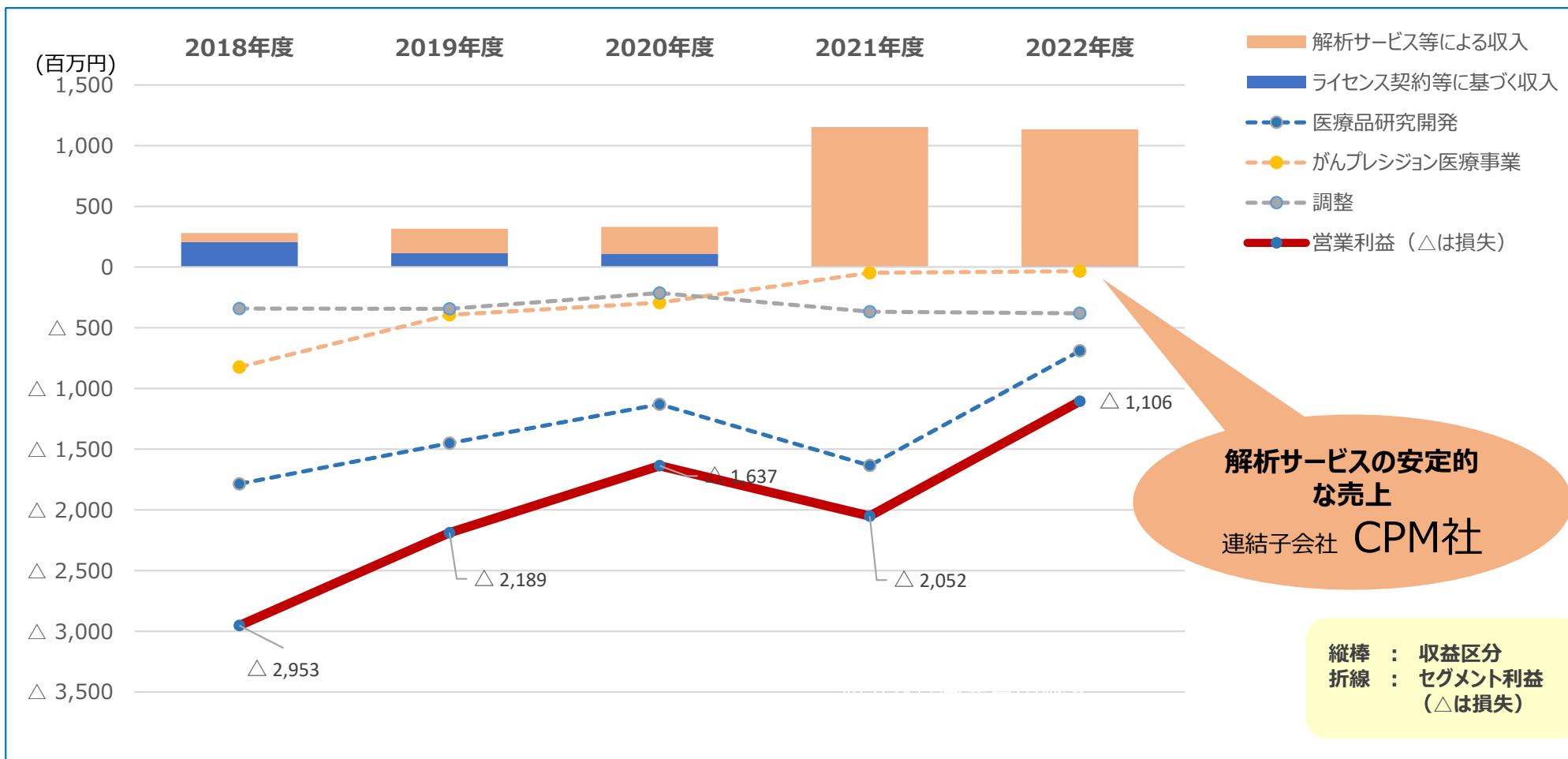
1. 会社概要

(4) 上場関連・資金調達状況

収益の分解とセグメント情報

(百万円)

収益区分	2018年度 (第18期)				2019年度 (第19期)				2020年度 (第20期)				2021年度 (第21期)				2022年度 (第22期)			
	「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	調整額	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	調整額	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	調整額	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	調整額	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	調整額	合計
顧客との契約から生じる収益	205	76	-	280	114	202	-	316	111	221	-	332	7	1,146	-	1,153	9	1,125	-	1,134
ライセンス契約等に基づく収入	205	-	-	205	114	-	-	114	111	-	-	110	7	-	-	7	9	-	-	9
解析サービス等による収入	-	76	-	75	-	202	-	202	-	221	-	221	-	1,146	-	1,146	-	1,125	-	1,125
セグメント利益 (△は損失)	△ 1,786	△ 824	△ 343	△ 2,953	△ 1,451	△ 394	△ 345	△ 2,189	△ 1,131	△ 293	△ 214	△ 1,637	△ 1,635	△ 48	△ 368	△ 2,052	△ 690	△ 34	△ 381	△ 1,106



1. 会社概要

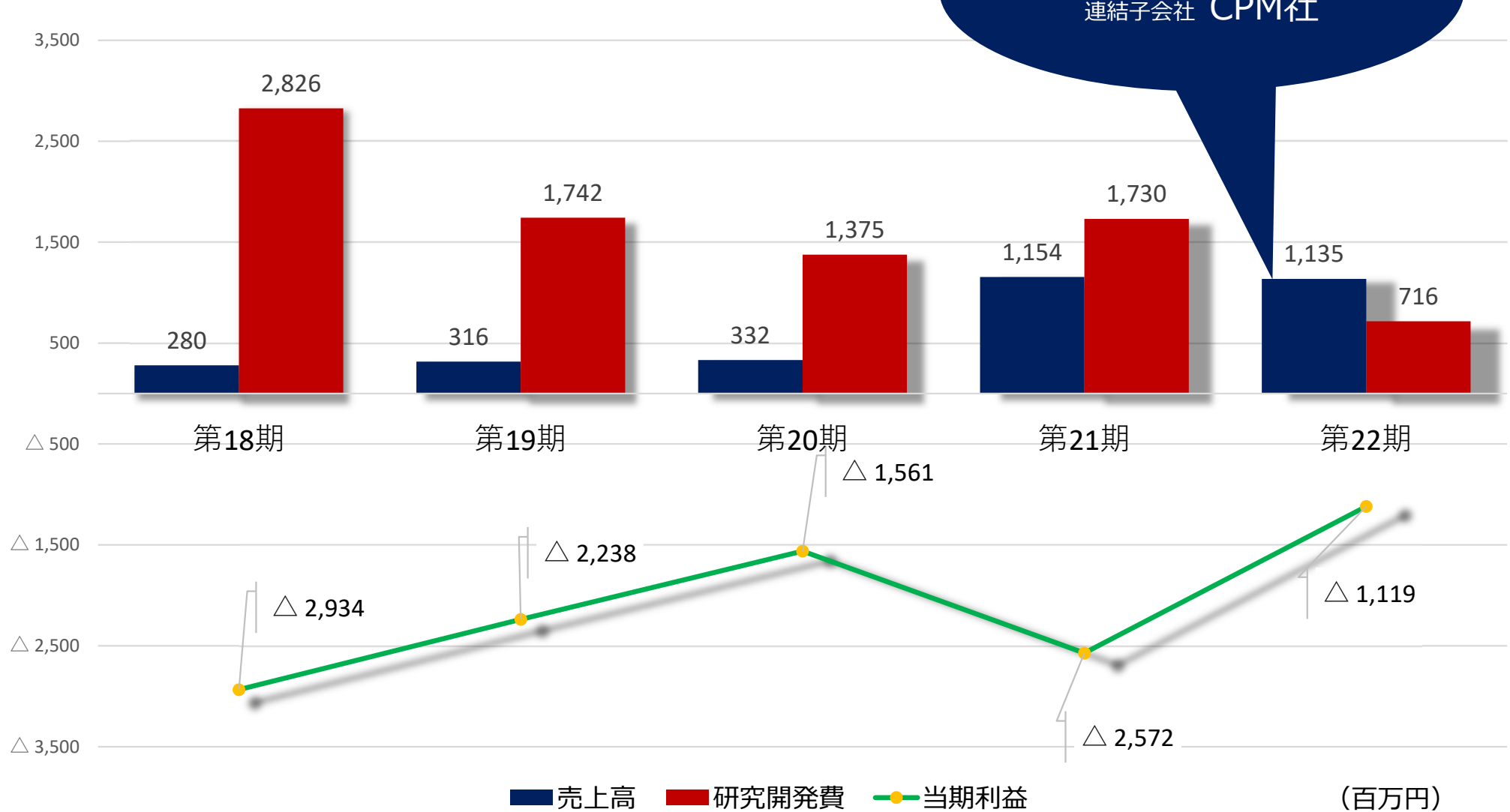
(5) 前期・当期ハイライト

2022年	4月	▶ FLT3阻害剤に関する研究結果の学会発表	※36ページ参照
	6月	▶ 膀胱がんに対するがん特異的ペプチドワクチンS-588410第Ⅱ相臨床試験結果論文公表	
	9月	▶ 胃がん患者を対象としたペプチドワクチン「OTSGC-A24」と免疫チェックポイント阻害剤の併用療法における第Ⅰ相臨床試験の途中経過発表	※25ページ参照
	10月	▶ 本社ならびに研究開発拠点（ラボ）の移転 ▶ 新規化合物に関する研究着手 臓器線維症の治療標的として有望な可能性があると考えられたリン酸化酵素（キナーゼ）について、当社化合物ライブラリに強く阻害する化合物が複数存在していることが判明。ライセンスアウトを目標に研究着手。	※35ページ参照
2023年	3月	▶ 当社連結子会社における協和キリン株式会社との抗体に関するライセンス導出契約終了の合意及び特許権譲渡の合意 ▶ 当社連結子会社における新規がん遺伝子パネル検査の開発着手 CPM社において、保険診療下で実施可能な、リキッドバイオプシーによりがん遺伝子を検査する新しいパネル及び検査手法の開発に着手。 ▶ 第三者割当による新株式並びに第34回新株予約権及び第35回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行	※38ページ参照 ※45ページ参照 ※18ページ参照
	5月	▶ 新規化合物に関する研究進捗 培養細胞を用いた薬効評価において、当社の複数の化合物が臓器線維症の発症機序を阻害することを確認。	※35ページ参照

1. 会社概要

(6) 前期ハイライト

直近5期の連結業績推移



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	
抗アミロイドβ ペプチド抗体	Aβ抗体	アルツハイマー型 認知症	P1終了 (欧州/日本)				—	
OTS167	低分子 MELK阻害剤	白血病	登録終了				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。また、自社化合物ライブラリを活用した複数の低分子化合物候補品を評価中。

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

(2) パイプライン詳細 がんペプチドワクチン S-588410

S-588410食道がん第Ⅲ相臨床試験の概要

※UMIN-CTR 臨床試験登録情報 (UMIN試験ID : UMIN000016954)

試験名	食道がん患者を対象とした術後補助療法としてのS-588410第3相多施設共同プラセボ対照二重盲検無作為化比較試験
試験のフェーズ	第Ⅲ相 目標参加者数：食道がん270例
目的	術前補助療法を施行した食道がんに対して根治的切除術を行い、病理組織学的にリンパ節転移陽性が確認されたヒト白血球抗原(HLA)-A*24:02を有する食道がん患者を対象に、S-588410の術後補助療法としての有効性を検証する (S-588410投与群の無再発生存期間をプラセボ投与群と比較する)
S-588410 ペプチドワクチン	食道がんにおいて発現の亢進が認められるがん精巢抗原 (DEPDC1, MPHOSPH1, URLC10, CDCA1およびKOC1) に由来する5種類のHLA-A*24:02拘束性ペプチドからなるがん特異的ペプチドワクチン
評価項目	主要評価項目：無再発生存期間 (RFS) 副次評価項目：特異的CTL解析、全生存期間(OS)、無病生存期間(DFS)、腫瘍評価、 Quality of life, 有害事象評価
試験期間	2015年5月～2021年7月
治療	S-588410を治験薬投与開始後12週までは週1回、13週以降94週までは2週に1回、皮下投与する

試験解析結果のまとめ

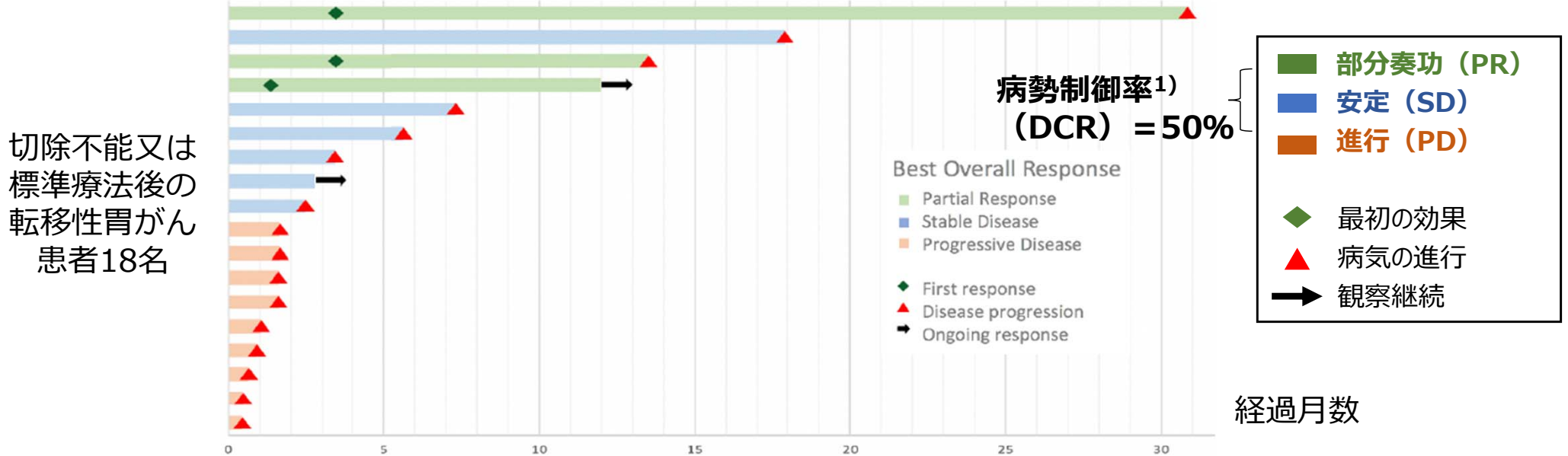
- 主要評価項目：S-588410群におけるRFS延長について統計学的な有意差は認められませんでした。
- 探索的な部分集団解析:S-588410投与により一定の発症部位の患者さん集団で全生存期間 (OS) が有意に延長され、またリンパ節転移が多い患者さん集団ではRFSやOSの改善が認められる傾向を確認しました。
- 副次評価項目：S-588410投与により高いCTL誘導率が確認され、主な副作用は注射部位の皮膚反応であり、重篤な皮膚反応は認められませんでした。

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 OTSGC-A24

OTSGC-A24、第 I 相臨床試験の中間結果

出典 : Joan Choo et al., ESMO conference presentation #1255P (2022/09/13)



¹⁾病状をコントロールできている患者の割合。RECIST 評価（腫瘍の縮小を判定する方法）における、完全奏功（CR）と部分奏功（PR）に、腫瘍の大きさが変化しない安定（SD）の患者を加えた割合。

- 有効性に関する部分奏功（PR）は 3 例（16.7%）、安定（SD）は 6 例（33.3%）であり、無増悪生存期間（PFS）の中央値は 1.64 ヶ月、全生存期間（OS）の中央値は 5.98 ヶ月。
- 特に、SD もしくは PR を示した患者における PFS 中央値は 13.5 ヶ月、OS 中央値は 18.6 ヶ月であった。
- 安全性に対する大きな懸念は認められなかった。

参考：標準治療で効果がない胃がん患者さんでのPh3試験結果（出典：Kang et al., *Lancet*. 2017）

PD-1抗体治療群 vs 対照群：CR+PR (11.2% vs 0%), PFS (1.61 ヶ月 vs 1.45 ヶ月), OS (5.26 ヶ月 vs 4.14 ヶ月)

2. パイプライン

(2) パイプライン詳細 OTS167

MELK阻害剤 OTS167

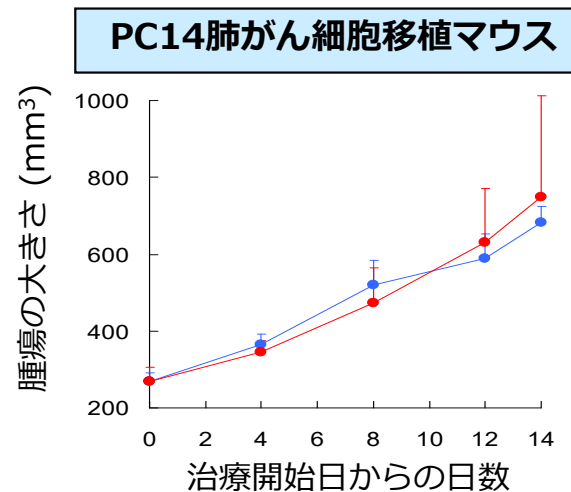
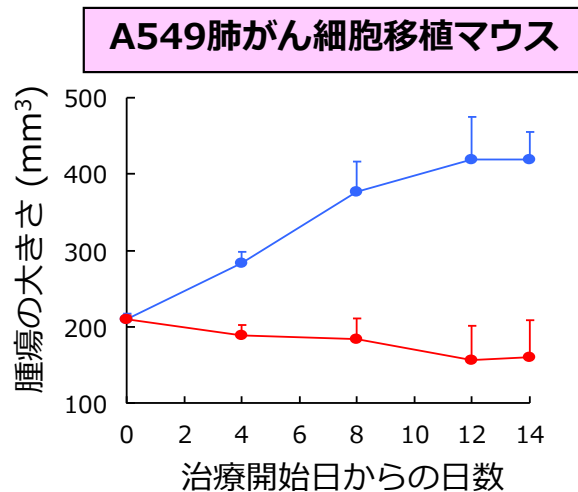
- MELK (Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase) は、多くのがんで高頻度の高発現している
- 精巣以外の正常組織では低発現している
- がん細胞及びがん幹細胞の増殖・生存に重要である
- MELK阻害剤OTS167は、ヒトがん細胞移植モデル (マウス) でMELK特異的かつ強い抗腫瘍効果を認めている

MELKに対して高い阻害活性

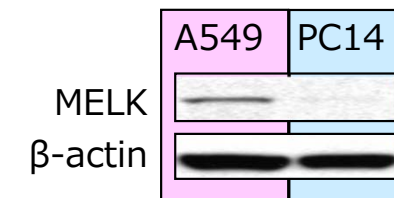
OTS167 IC₅₀ = 1.1 nM

*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 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

OTS167の急性骨髄性白血病に対する第I/II相臨床試験は、5日連続静脈内投与後の安全性・忍容性について、一定の用量までの安全性が確認され、患者登録を終了しました。

※2021/11/25 MELK阻害剤「OTS167」の米国における急性骨髄性白血病に対する第I/II相臨床試験患者登録終了に関するお知らせ
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2021/11/211125_01.pdf

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医薬品が多数上市されており売上高の予想は難しいが、経口抗がん剤として大型医薬品になる可能性が高い

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	甲状腺がん 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

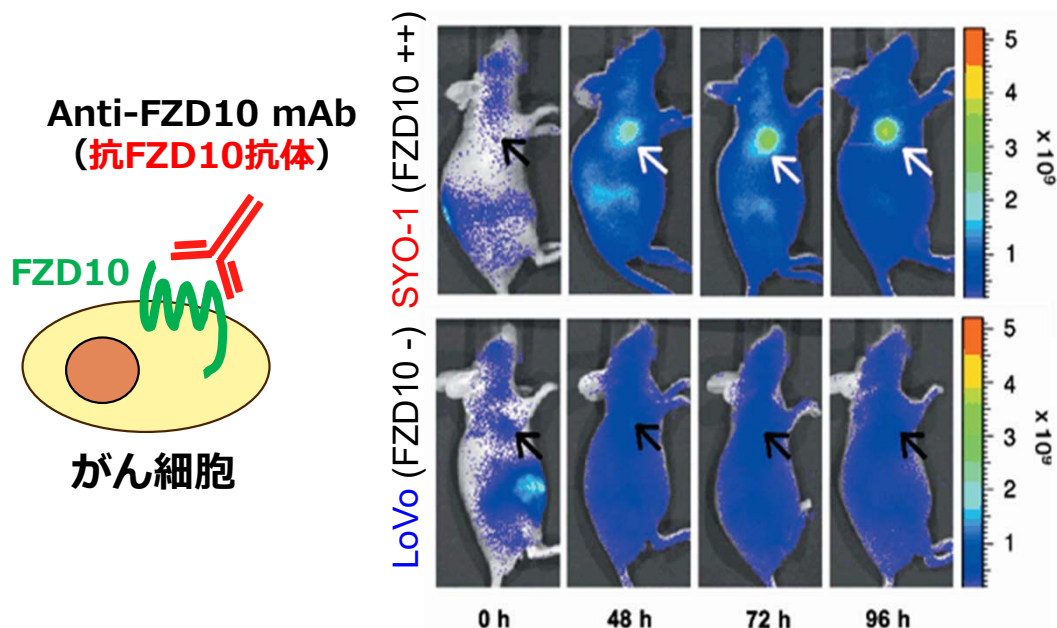
*1 2020年 Oncology Global Sales, PharmaComapss資料より

2. パイプライン

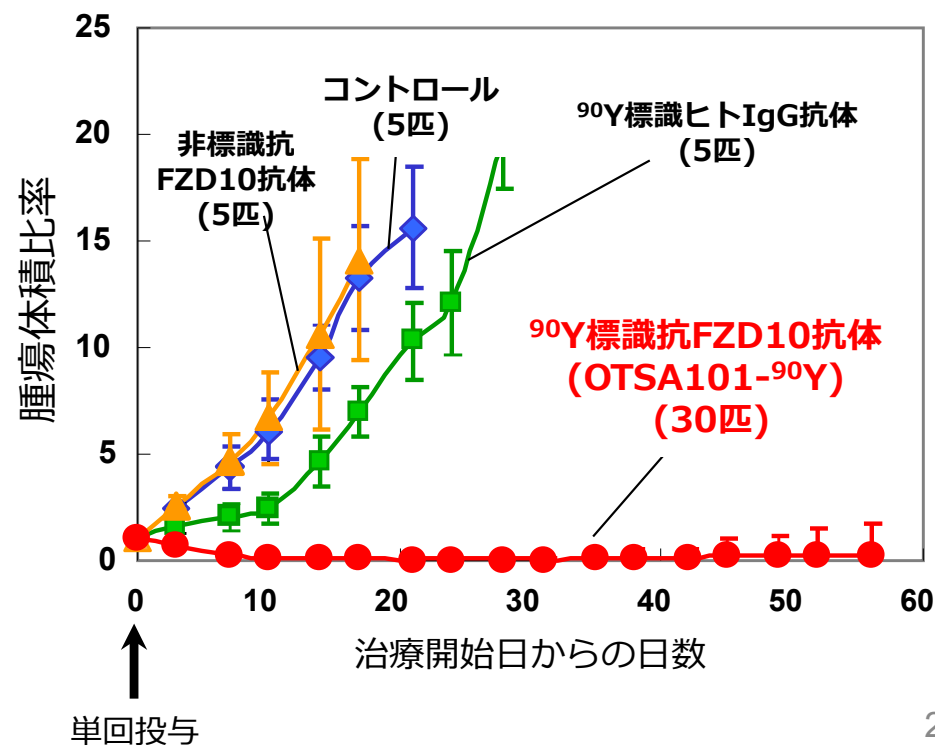
(2) パイプライン詳細 OTSA101

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)

ステージ	第 I 相
対象疾患	難治性または再発性滑膜肉腫
目的	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
投与経路	静脈内
試験実施国	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

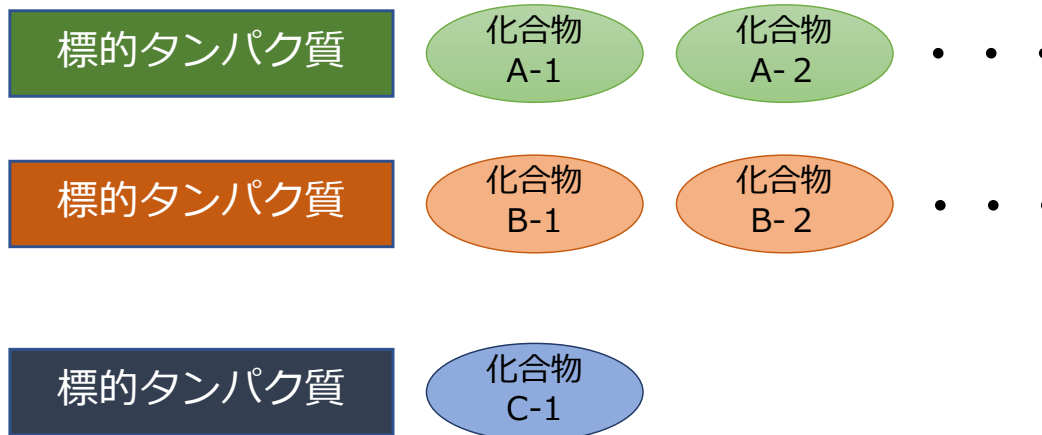
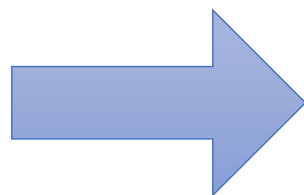
3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(1) 概要

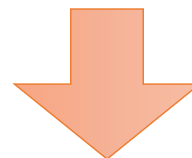
- 創薬研究により蓄積された独自の化合物ライブラリおよび付随データを保有。
- がんに限らず、様々な疾患の治療標的となり得るタンパク質に対して強い阻害活性を示す化合物が複数存在。
- その用途について、引き続き情報収集を行うと共に、ライブラリの価値を利用した活用方法（共同研究等）を検討する。

独自化合物ライブラリを、新たな創薬標的プロジェクトのために活用する

独自化合物ライブラリ



開発候補品探索



⇒ **臓器線維症の治療標的（リン酸化酵素）阻害剤**

2022/10/31 新規化合物に関する研究着手のお知らせ
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/10/221031_01.pdf

⇒ **FLT3（FMS-like tyrosine kinase 3）阻害剤**

2022/4/11 FLT3阻害剤に関する研究結果の学会発表のお知らせ
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/04/220411_01.pdf

3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(2) 臓器線維症の治療標的（リン酸化酵素）阻害剤

臓器線維症

臓器線維症は、損傷を受けた臓器の修復過程において、細胞外マトリックスが過剰に沈着することにより線維化が進み、機能不全をきたす病態をいう。肺、肝臓、腎臓などさまざまな臓器に発症する。臓器が線維化するとそこに「がん」が発生することが多く、臓器線維症は前がん病変として捉えることもできる。

疾患例

特発性肺線維症(IPF)、肝硬変、慢性肝炎(非アルコール性脂肪肝炎(NASH)アルコール性肝炎、ウイルス性肝炎)、腎線維症 など

治療薬の市場規模

特発性肺線維症（IPF）：世界 52億6,800万米ドル/2027年予測

現在国内承認治療薬は2剤のみ

ピルフェニドン（商品名：ピレスパ、製造販売：塩野義製薬、国内承認：2008年）

ニンテダニブ（商品名：オフェブ、製造販売：BI、国内承認：2015年）2020年国内売上 393億円

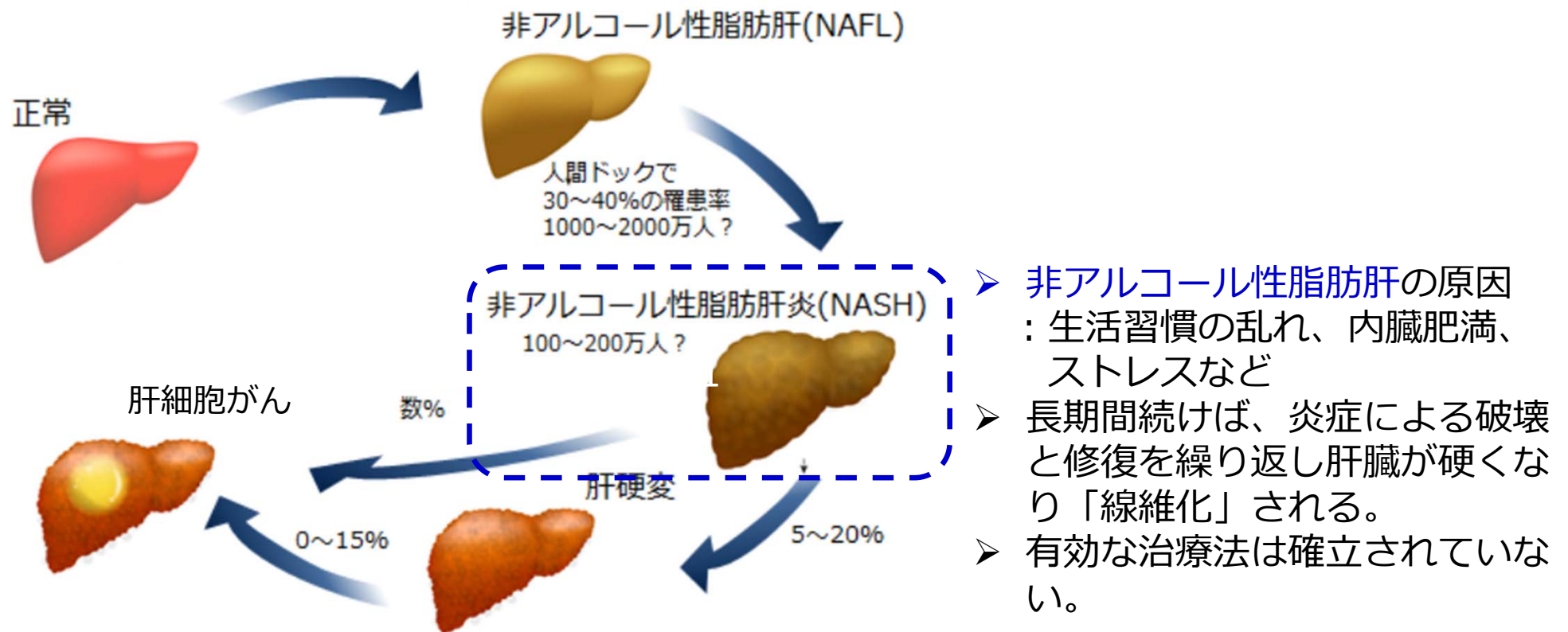
NASH：世界 843億4,000万米ドル/2029年予測

日米欧 承認治療薬なし

3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(2) 臓器線維症の治療標的 (リン酸化酵素) 阻害剤

メディカルニーズが高い臓器線維症の例：非アルコール性脂肪肝炎 (NASH)



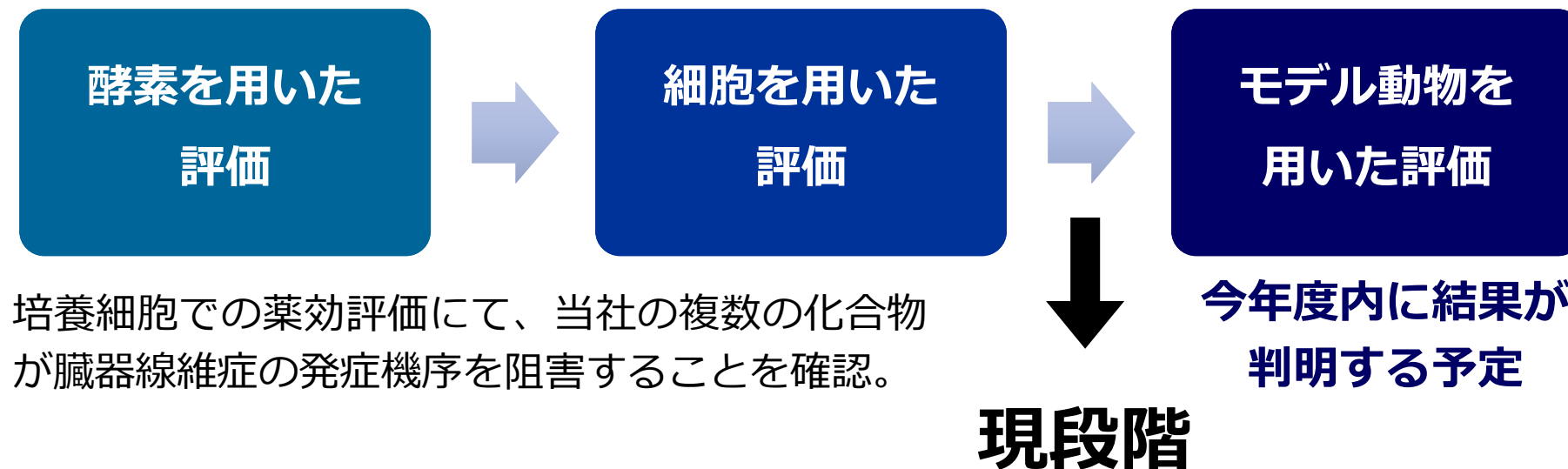
出典：国立国際医療研究センター、肝炎情報センター
(<https://www.kanen.ncgm.go.jp/cont/010/shibousei.html>)

3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(2) 臓器線維症の治療標的（リン酸化酵素）阻害剤

臓器線維症の発症機序を阻害する有望化合物

創薬研究における有望化合物の選定プロセス



- 培養細胞を用いた薬効評価にて、当社の複数の化合物が臓器線維症の発症機序を阻害することを確認した。
- 今後は、動物試験での薬効確認後、非臨床・臨床試験に向け、さらに化合物を選定する必要がある。
- ただ、当社は臓器線維症については開発ノウハウを持たないため、単独開発ではなくライセンスアウトを目指す。

3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(3) FLT3阻害剤

FLT3阻害剤 OTS447

- FLT3(FMS-like tyrosine kinase 3)は急性骨髄性白血病(AML)で最もよく変異がみられる遺伝子のひとつ
- FLT3阻害剤が複数承認されそれ以前の治療方法と比較して高い効果が得られているが、薬剤耐性変異の出現による再発などの課題が残されている
- この薬剤耐性変異の課題を克服すべく自社所有化合物ライブラリのスクリーニングによりFLT3に対して高い阻害活性と選択性を有する化合物としてOTS447等を発見
- OTS447は薬剤耐性のメカニズムであるFLT3-ITD-TKD変異をもつ細胞の増殖も強く抑制する

FLT3に対して高い阻害活性

OTS447 $IC_{50} = 0.19 \text{ nM}$

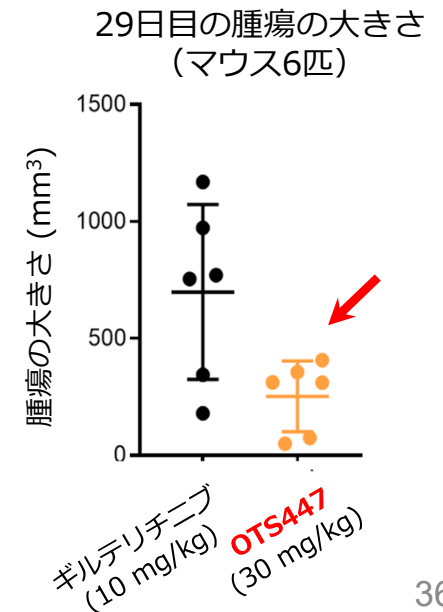
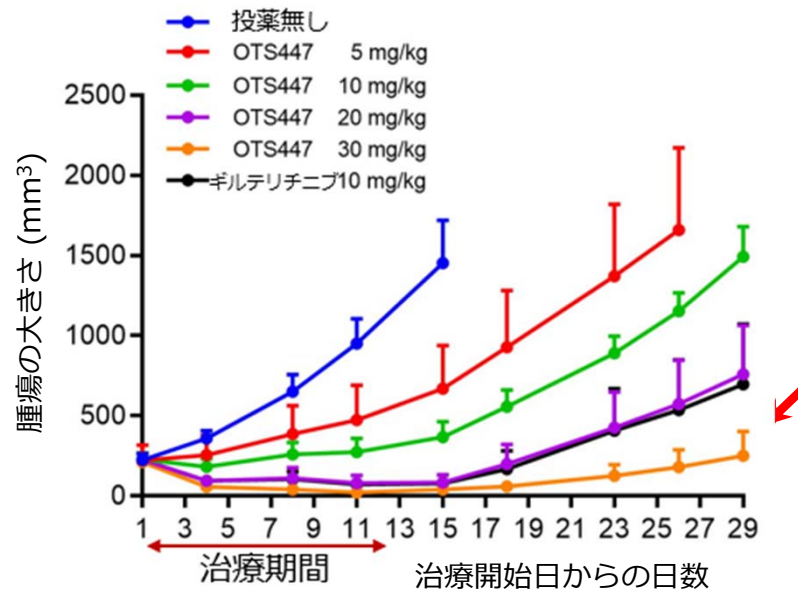
他社化合物との比較

ギルテリチニブ (AML適応承認済みのFLT3阻害剤) $IC_{50} = 0.23 \text{ nM}$
ソラフェニブ (FLT3を含むマルチキナーゼ阻害剤) $IC_{50} = 6.8 \text{ nM}$

* IC_{50} ; 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。

OTS447の抗腫瘍効果

OTS447はMV4-11皮下担がんモデルマウスを用いた薬効試験において非常に高い薬効を示し、大きな体重減少は認められなかった。



3. 当社独自化合物ライブラリの活用

(3) FLT3阻害剤

FLT3阻害剤の市場性

急性骨髄性白血病患者数：約16万人（世界）、7千人（日本）

出典：Texas Oncology (2018). Acute Myeloid Leukemia 厚生労働省 平成29年患者調査

承認済みFLT3阻害剤はまだ少なく、耐性変異の問題も残されており今後の新薬開発が期待されている

参考) 日本もしくはFDAで承認されているFLT3阻害剤

製品名	一般名	販売会社	売上予想 (100万USD)	承認国
Xospata	Gilteritinib	アステラス	770-1500	日本、米国
Vanflyta	Quizartinib	第一三共	4	日本
Rydapt	Midostaurin	Novartis	250	米国

4. イムナス・ファーマ社

(1) 抗アミロイドβペプチド抗体

<2023年3月9日リリース>

- ・ 協和キリン(株)との抗アミロイドβペプチド抗体に関するライセンス導出契約終了
- ・ 契約終了に伴い、協和キリン株式会社から**当該抗体に係る特許権を譲り受ける**

当社連結子会社の 抗アミロイドβペプチド抗体の特徴

- ✓ 毒性の高いアミロイドβ凝集体への高い選択性を有しており、そのアミロイドβ凝集体を中和することにより、アルツハイマー型認知症の病状の進行を抑制。
- ✓ アミロイド関連画像異常（ARIA）副作用のリスクが低く、**安全な長期間の治療が期待される。**
- ✓ 協和キリン(株)が実施した国内及び欧州での第 I 相臨床試験にて、安全性が確認された。
(ClinicalTrials.gov ID : NCT02127476、NCT02377713、NCT03093519)

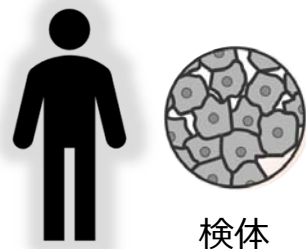
**ライセンスアウト活動を進め、
アルツハイマー型認知症の治療薬を提供することを目指す。**

5. CPM社

(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（クリニカルシーケンス）



医師の診断により
患者さんの遺伝子変異に合った
既存の治療薬を見つける



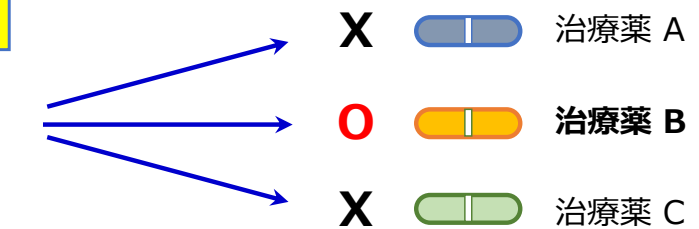
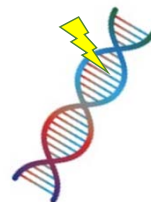
検体

遺伝子解析



次世代シーケンサー

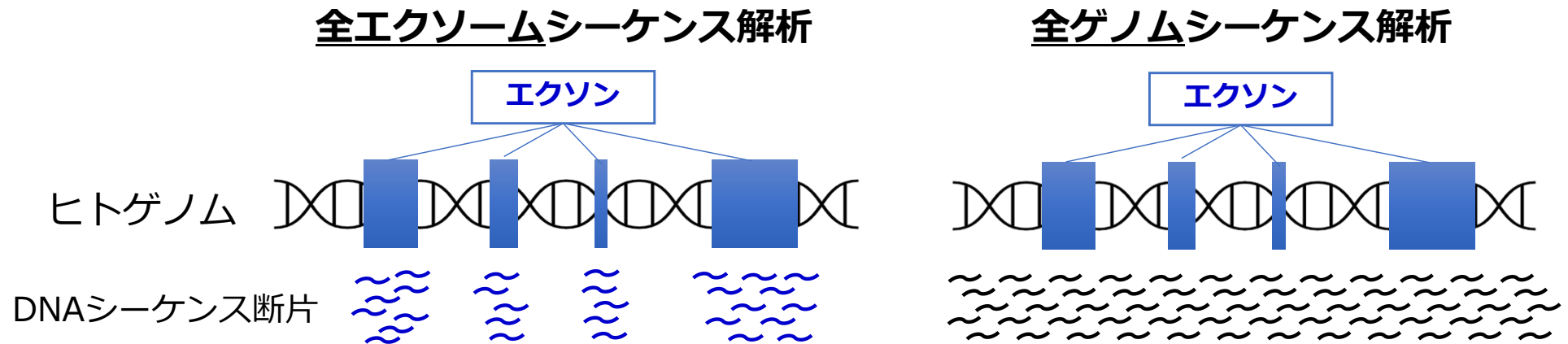
遺伝子変異



シーケンス解析情報を利用

5. CPM社

(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（全ゲノムシーケンス解析）



全エクソームシーケンス解析（WES）：ゲノムDNA中にはタンパク質をコードする部分（エクソン）とそうでない部分（イントロン）が存在するが、エクソン領域の全体（エクソーム）を選択的に抽出し、効率的に解析する。疾患を引き起こす多くの変異はヒトゲノムの2%に満たないエクソン領域に位置することが知られており、WES解析を行うことで疾患に関わる遺伝子変異の情報を効率的かつ低コストで取得することができる。

全ゲノムシーケンス解析（WGS）：コーディング領域（エクソーム）と非コーディング領域の両方を含む、ゲノムの包括的な特性評価を行う。がんの進行を促す変異の特定や、疾患との遺伝的関連の研究など、幅広いアプリケーションに利用できる。

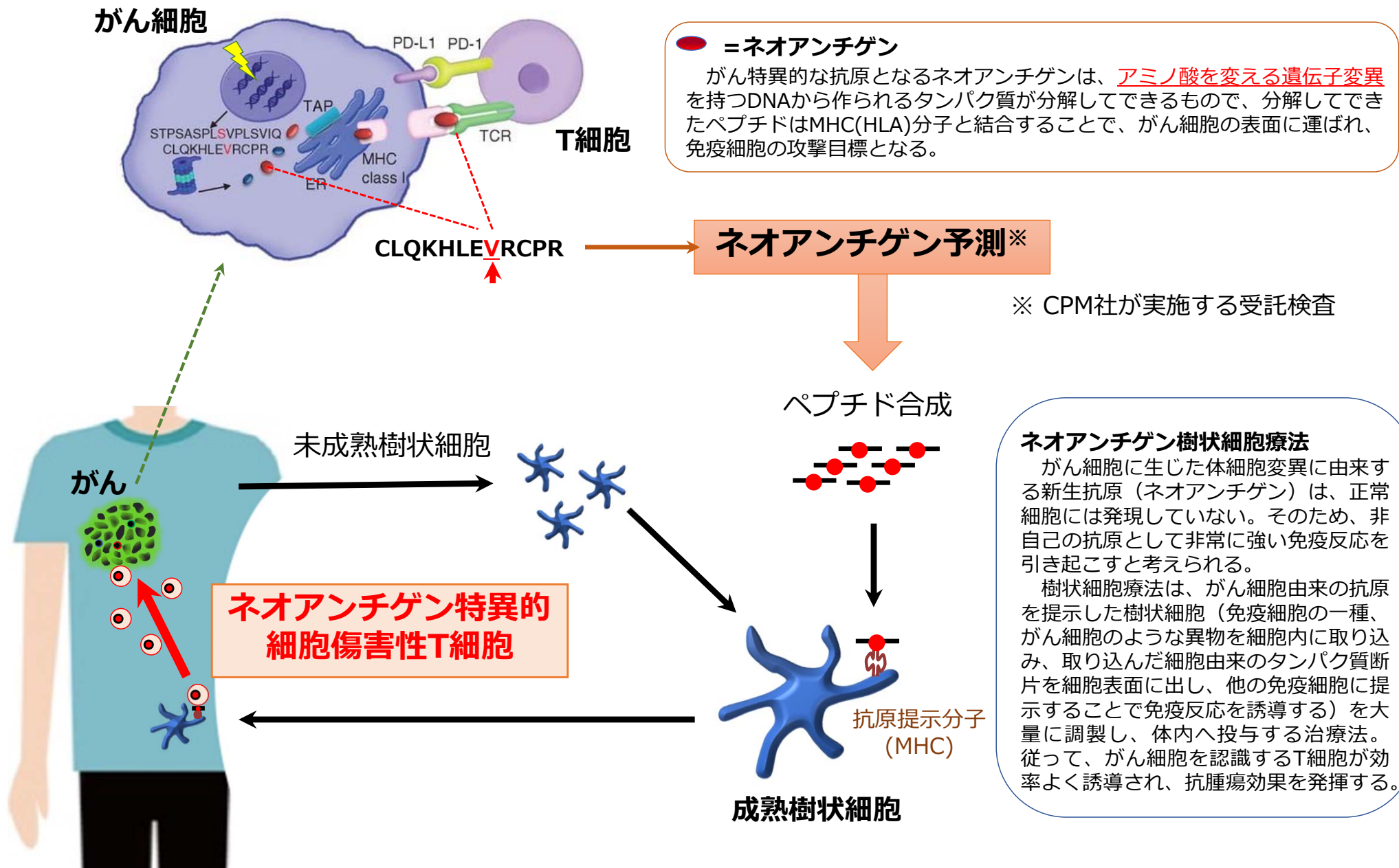
2021年10月、全ゲノムシーケンス解析業務における大口受注

受注金額：約 8 億円

受注期間：2021年10月～2022年3月

5. CPM社

(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ (ネオアンチゲン解析)



出典 : Anagnostou et al., *Cancer Discov.* 2017、OTS社内資料

5. CPM社

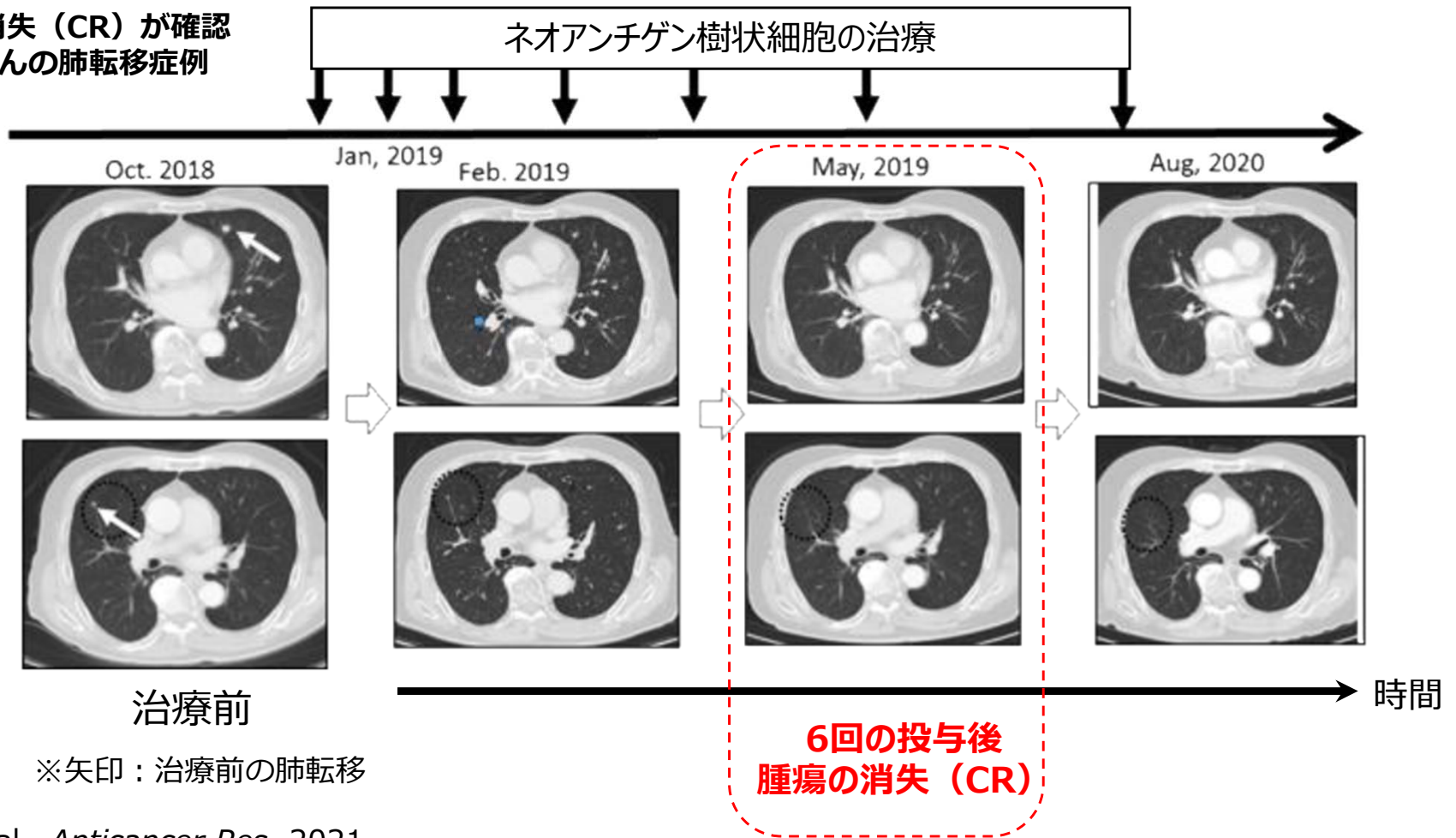
(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（ネオアンチゲン解析）

共同研究先：福岡がん総合クリニック（森崎 隆 先生）

※CPM社はネオアンチゲン解析を担当

- ・ 標準治療不応進行がん17症例を対象にしたネオアンチゲン樹状細胞療法。
- ・ 本治療において重篤な有害事象はなく、1症例では持続的な腫瘍の消失（CR）、3症例では部分的な縮小（PR）、10症例では安定した状態（SD）を示した。
- ・ また、ネオアンチゲンペプチドに対するT細胞の免疫応答の誘導も確認された。

継続的な腫瘍の消失（CR）が確認された腎細胞がんの肺転移症例

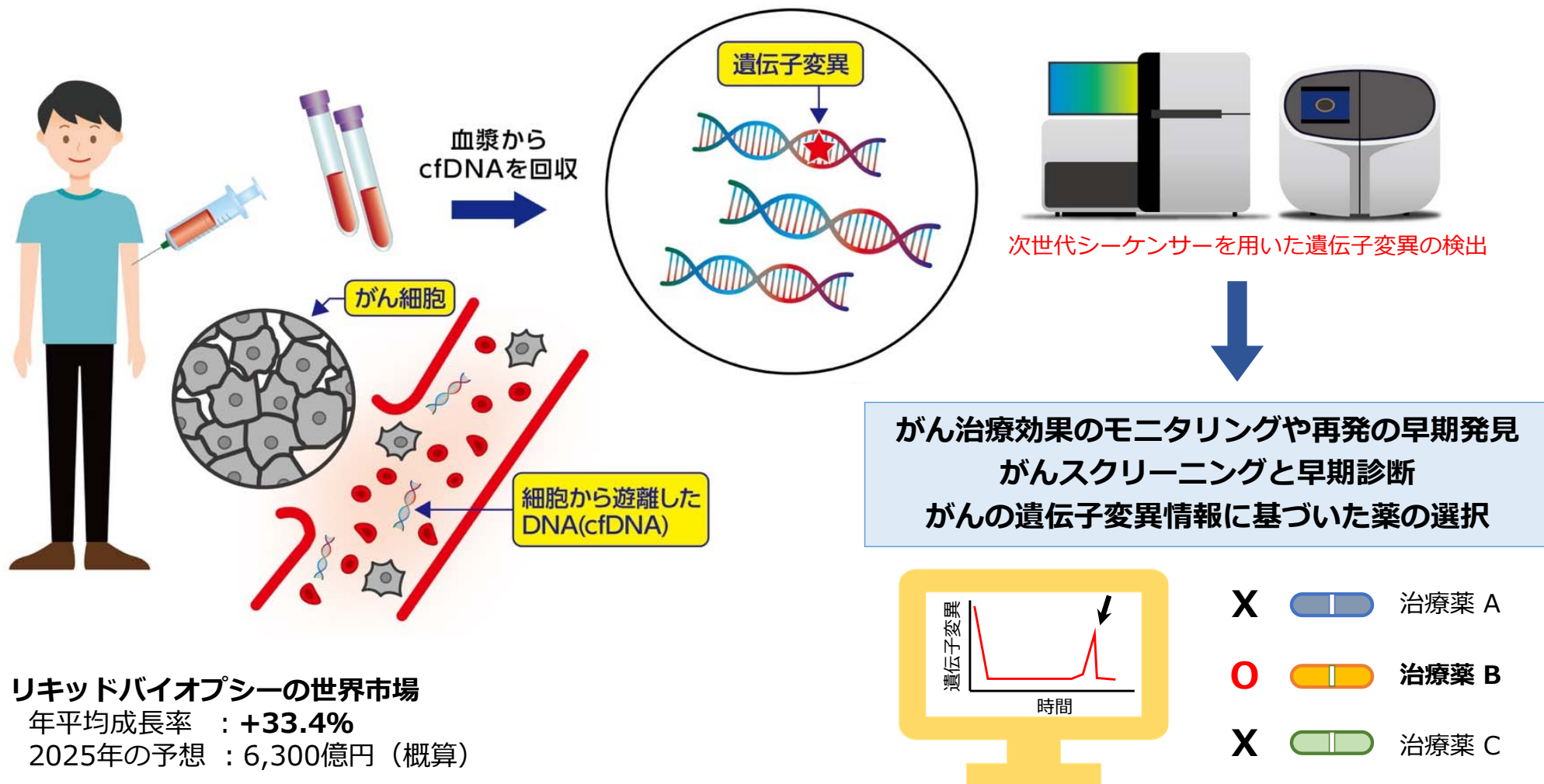


5. CPM社

(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（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。



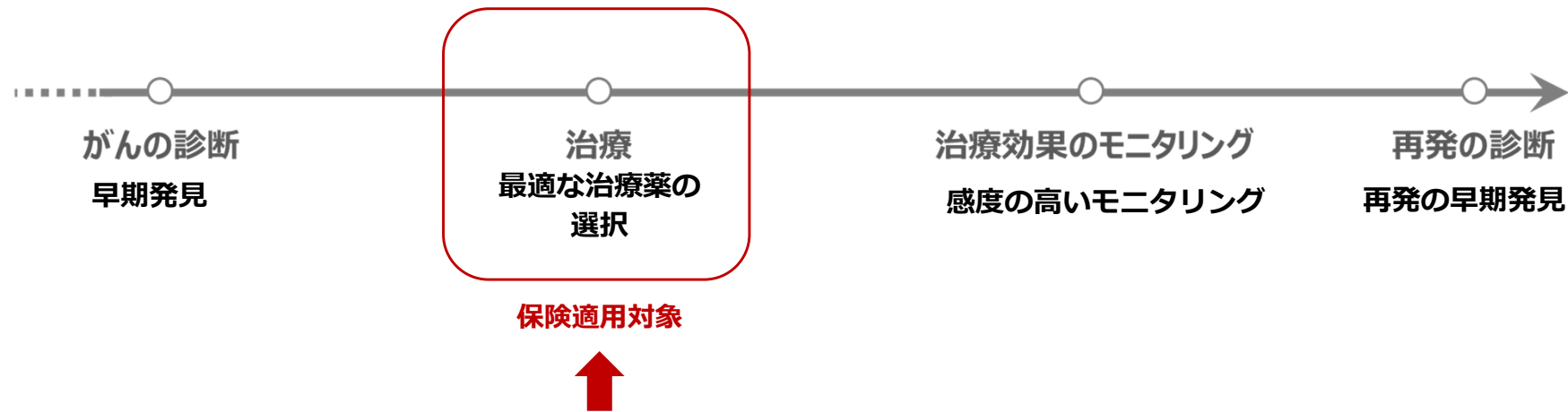
リキッドバイオプシーの世界市場

年平均成長率 : +33.4%

2025年の予想 : 6,300億円 (概算)

(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（新規がん遺伝子パネル開発）

リキッドバイオプシーは、がんの診断から治療薬の選択、治療効果および再発モニタリングまでさまざまなタイミングで繰り返し利用することが期待されている検査です。



一方で、現状のリキッドバイオプシーパネル検査の保険適用対象者は、**以下の方に対して1回だけ認められています。**

- ・ 原発不明がんや希少がんなどの**標準治療がない**固形がん患者さん
- ・ 局所進行あるいは転移が認められ**標準治療が終了となった**（見込み含む）固形がん患者さん

⇒ リキッドバイオプシーの利点を活かし、「**適切なタイミングで**」「**繰り返し**」検査を行う医療を実現するため、**新規がん遺伝子パネル検査の開発に着手**

5. CPM社

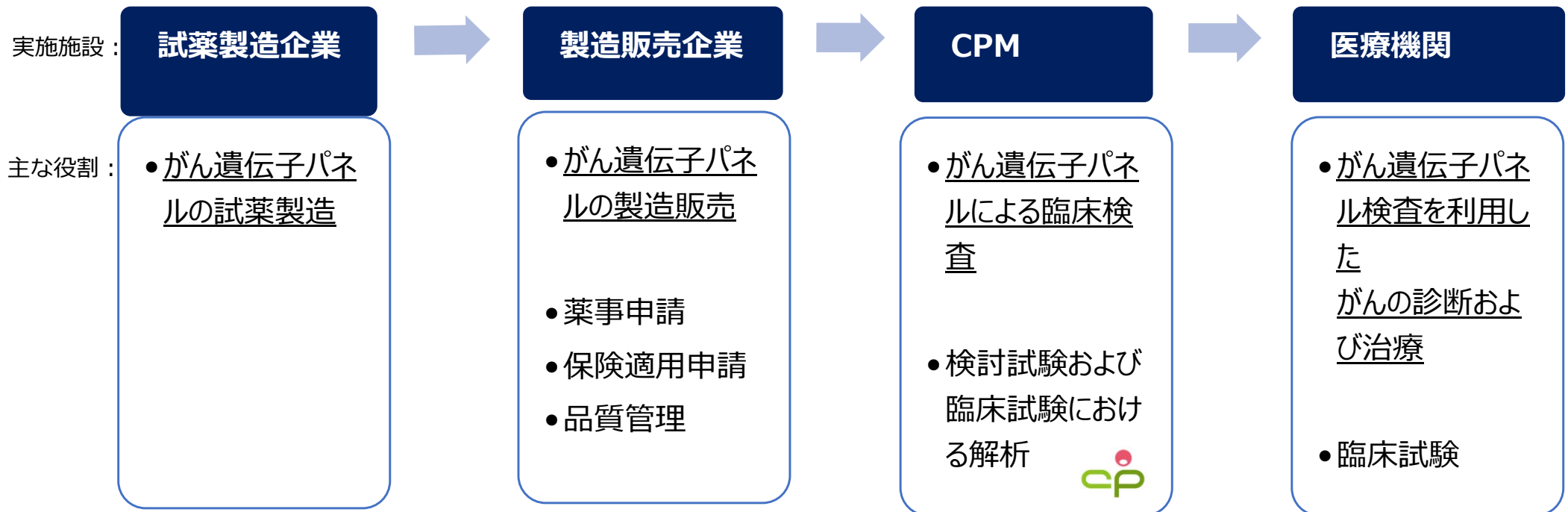
(1) がんプレジジョン医療へのアプローチ（新規がん遺伝子パネル開発）

リキッドバイオプシーの利点を活かし、適切なタイミングで繰り返し利用できる新規がん遺伝子パネルの開発を目指す。

新規がん遺伝子パネル検査の概要：

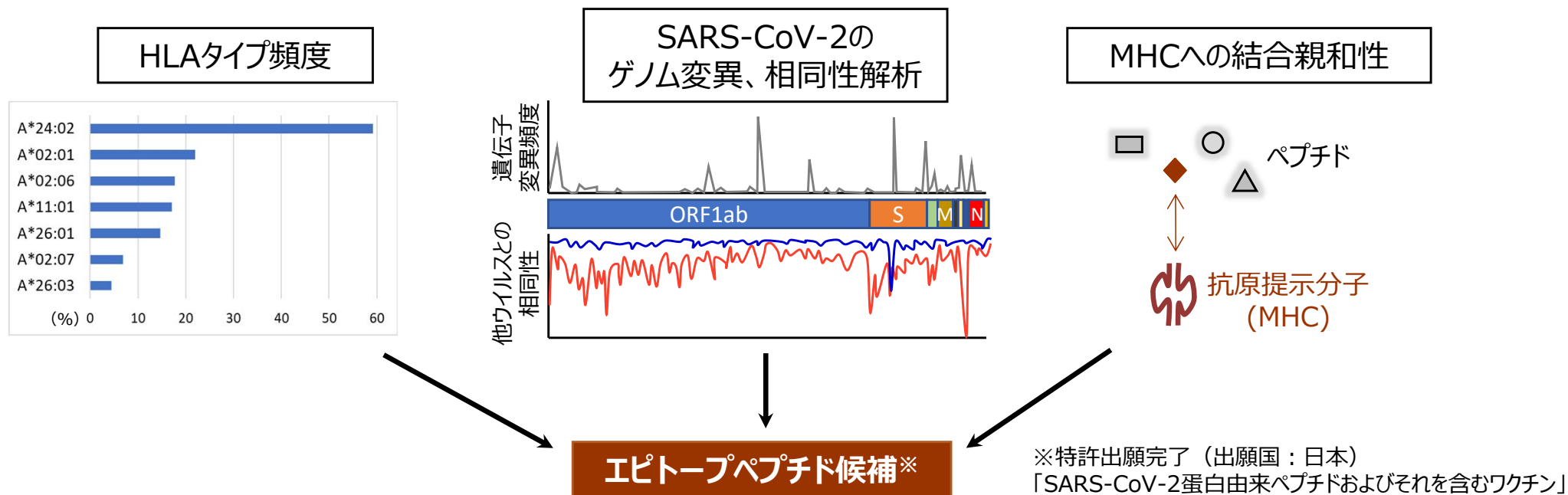
- さまざまな固形がんに通じるがん遺伝子変異を対象としたパネル
- クローン性造血（※）に関連する遺伝子変異を含む
※血液細胞が増殖する過程で、遺伝子変異を伴う現象。
加齢やがんの治療等によって増加し、血液がん等の疾病の発症リスクに関連する。
- 保険診療下でも実施可能なパネル検査を目指す

保険診療下での検査提供の流れ



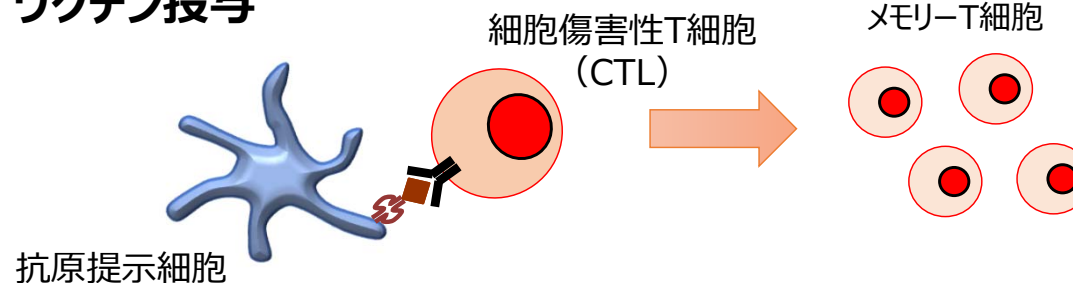
6. その他研究開発/受託検査等

(1) 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】

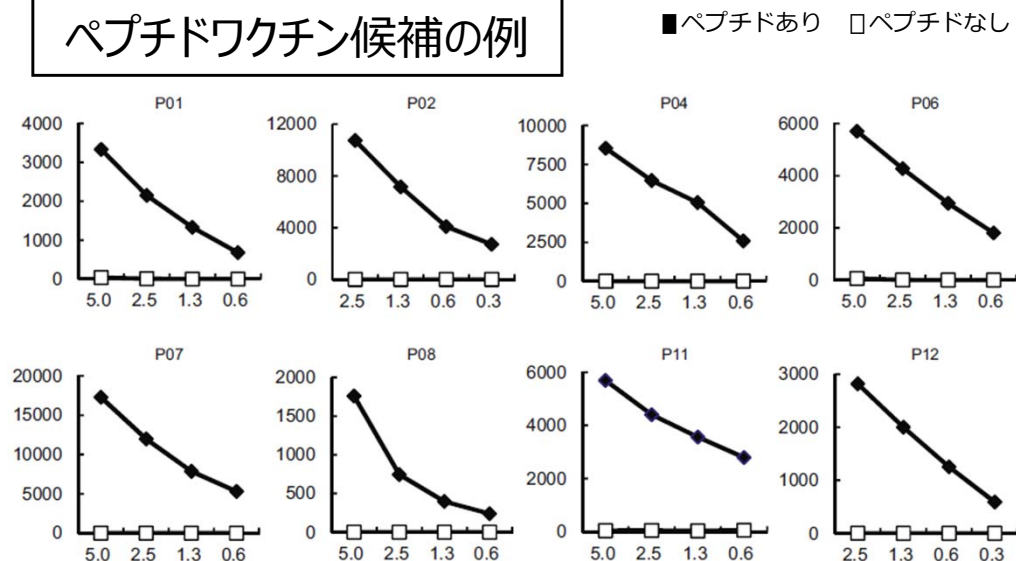
- 特許出願：開発候補ペプチドを含む特許の出願を完了
- 事業の推進：新規次世代ペプチドワクチンとしての開発に向けた提携先の探索を継続

6. その他研究開発/受託検査等

(1) COVID-19に対するペプチドワクチン研究開発

新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）の突然変異による影響を受けにくい、新たなCOVID-19ペプチドワクチン候補の同定

ペプチドワクチン候補の例



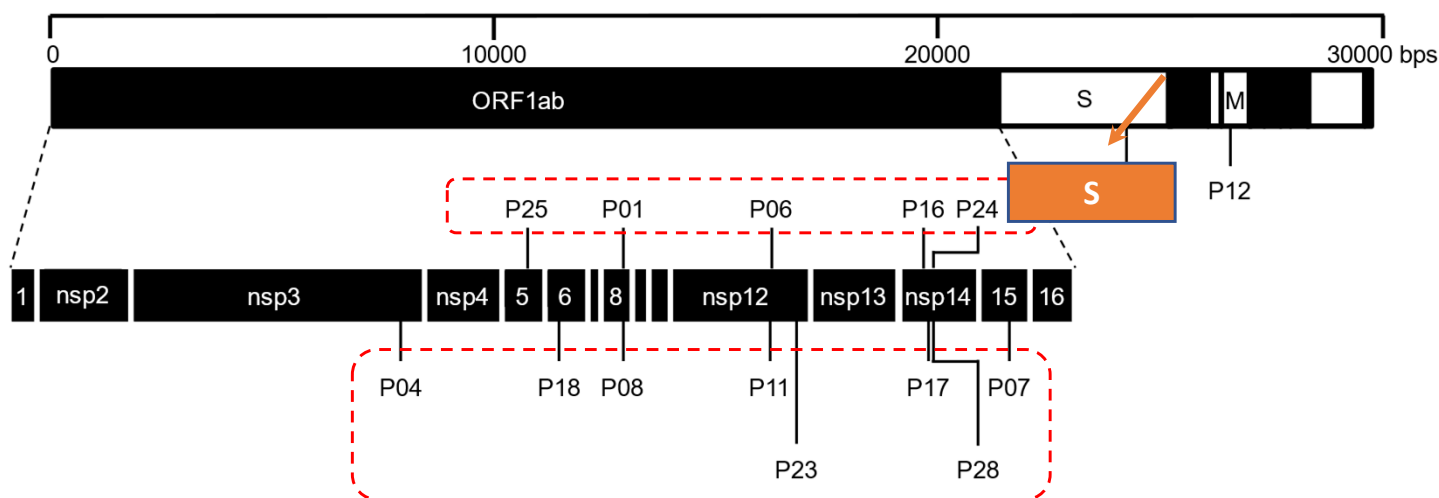
日本人で多いHLAタイプ（A*24：02）に結合し、SARS-CoV-2特異的な細胞傷害性CD8陽性T細胞（CTL）を誘導するペプチドワクチン候補の同定。

健康人由来のT細胞を用いて、各ペプチドに対する特異的免疫応答を確認。※Y軸：IFN-γの分泌（pg/mL）。

COVID-19回復者の末梢血中にこれらのペプチドに反応するCTL細胞の存在も認められた。

スパイクタンパク質

SARS-CoV-2のゲノム



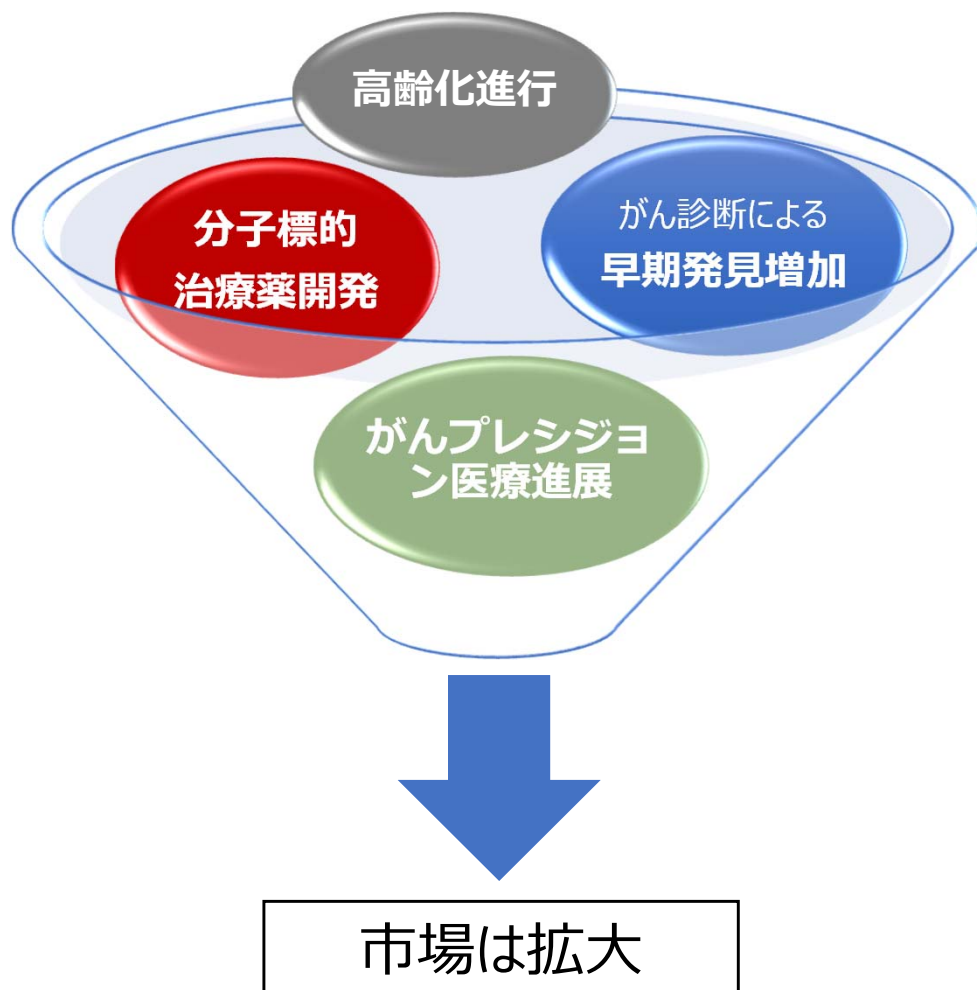
ペプチドワクチン候補多くはスパイクタンパク質以外のウイルスタンパク質（ORF1abなど）から由来。

従来のコロナウイルスにも保存されている突然変異を起こしにくい部分を利用しており、オミクロン株の突然変異からも影響を受けにくい。

出典：Hikichi et al., *J Hum Genet.* 2022

7. 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
- ✓ 自社化合物ライブラリを活用し、新規化合物等の開発候補品を探索

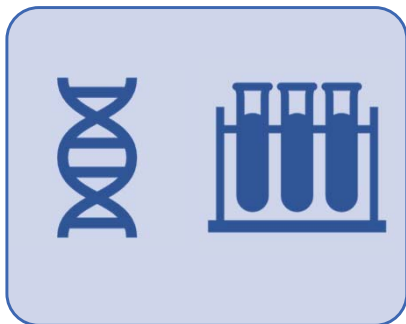
リスクとリターンのバランス

- ✓ 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

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。

7. 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
- 臓器線維症治療標的に対する新規化合物の研究・ライセンスアウト活動※
- 自社化合物ライブラリ活用の検討



臨床開発

- OTS167, OTSA101：迅速な開発の実施により、治験の早期終了を目指す
- 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

※新規化合物研究について

2022年上期に新たに発表された臓器線維症に関する新しい作用機序の報告論文により、臓器線維症の治療標的として有望な可能性があると考えられたリン酸化酵素（キナーゼ）について、当社化合物ライブラリに、強く阻害する化合物が複数存在していることが判明しました。現在までに培養細胞を用いた薬効評価まで完了し当初の計画通り順調に研究が進捗しております。本化合物についてはライセンスアウトを目標とし、自社での単独開発は検討しておりません。

※2022/10/31 新規化合物に関する研究着手のお知らせ
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/10/221031_01.pdf

※2023/5/15 新規化合物に関する研究進捗のお知らせ
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/05/230515_01.pdf

7. 達成目標/将来ビジョン

(1) 今後の方針



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
- 共同研究、受託研究等による自社化合物ライブラリ活用の検討
- 抗アミロイドβペプチド抗体のライセンスアウト活動の推進



がんプレジジョン医療

- 大規模遺伝子解析業務への継続的な参画
- 医療機関との連携によるがんプレジジョン医療浸透に向けた活動の継続
- がん免疫研究に関連する市場への受託業務サービスの展開
- 新規がん遺伝子パネル検査開発の推進

※新規がん遺伝子パネル検査の開発着手

- 当社連結子会社であるCPM社は、2023年3月に保険診療下で実施可能な、リキッドバイオプシーによりがん遺伝子を検査する新しいパネル及び検査手法の開発に着手。
- さまざまな固形がんに共通するがん遺伝子変異を対象とし、既存の治療薬の標的となる遺伝子変異を包括的かつ安価に解析することを目指す。
- がんと関連しない変異であるクローン性造血も対象に含め、リキッドバイオプシーにおける偽陽性の評価や、クローン性造血のモニタリングに利用することも目的とする。
- 保険適用を目指し、医療機器製造販売を行う企業との提携について検討を進める。

7. 達成目標/将来ビジョン

(2) 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		
		2022年	2023年	2024年以降の達成目標 ³⁾
創薬 ¹⁾	OTS167	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 乳がん第I相試験の患者登録加速化 	<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 	<ul style="list-style-type: none"> □ 乳がんでの治療有効性を確認する第II相試験の実施 □ アンメット・メディカル・ニーズに対して適応拡大を目指す
	OTSA101	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 滑膜肉腫第I相試験の患者登録加速化 ✓ 価値向上に向けた共同研究の継続的な実施 	<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 □ 適応拡大・価値向上に向けた共同研究の継続 	<ul style="list-style-type: none"> □ 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相試験の中間結果発表 	<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 	<ul style="list-style-type: none"> □ 胃がんでの治療有効性を確認する第II相試験の実施
	抗アミロイドβペプチド抗体	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 協和キリン株式会社からヒト化抗体に係る特許権を譲り受けた 	<ul style="list-style-type: none"> □ ライセンスアウト活動の推進 	<ul style="list-style-type: none"> □ ライセンスアウト活動の推進
	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"> □ 免疫学的メカニズムの解明 □ 開発提携先の探索を継続 	<ul style="list-style-type: none"> □ 開発提携先の探索を継続
<ul style="list-style-type: none"> ✓ 自社化合物ライブラリ活用による、FLT3阻害剤、臓器線維症治療の候補品の同定 		<ul style="list-style-type: none"> □ 治療メカニズムの解明と動物モデルでの評価 □ 早期導出を視野に入れつつ開発パートナー模索と連携 	<ul style="list-style-type: none"> □ 非臨床試験の開始 □ がんに限らず自社化合物ライブラリを活用した複数の低分子化合物候補品同定 	
解析業務	解析サービス	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 大規模遺伝子解析業務への参画 ✓ がん免疫研究解析サービスの顧客拡大 	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 大規模遺伝子解析業務の日常診療へ向けた取り組みの継続 ✓ がん免疫・シーケンス解析サービスの顧客拡大 ✓ リキッドバイオプシーによる新規がん遺伝子パネルの開発 	<ul style="list-style-type: none"> □ 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 □ リキッドバイオプシーによる新規がん遺伝子パネルの開発

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

7. 達成目標/将来ビジョン

(3) 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

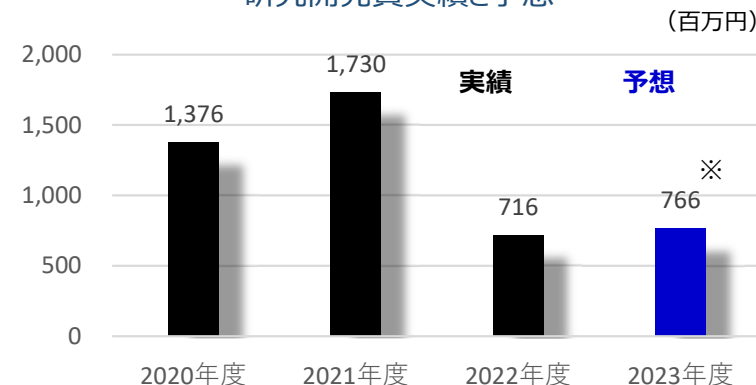
- ・自社起源の新薬承認・発売へ
- ・事業収益の拡大化
- ・新規技術の研究開発

- ・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（実施中）と研究開発への計画的投入

2023年

時間軸

研究開発費実績と予想



※予想は現時点の数値であり変更する可能性があります。
また、研究開発費は医薬品研究開発とがんプレジジョン医療研究開発に区分され、原材料費、労務費及び外注加工費にて構成されております。
また、2024年3月期から2026年3月期までの3年間に於いて約49.6億円の資金需要が発生する予定です。

8. 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のネットワーク作りにも取り組む。
		当社グループは、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	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。
	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		

※上記以外のリスク情報については、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

補足資料

嶋田 順一 Junichi Shimada

代表取締役社長 President & CEO

有識者/経営経験者

当社連結子会社 イムナス・ファーマ株式会社代表取締役社長
同 株式会社Cancer Precision Medicine代表取締役社長

加藤 肇夫
Hatsuo Kato

取締役会長
Chairman

有識者/経営経験者

朴 在賢
Jae-Hyun Park

取締役
Director

研究者/博士（医学）（東京大学大学院卒）

当社Chief Scientific Officer

当社連結子会社 株式会社Cancer Precision Medicine取締役

経歴

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

三木 義男
Yoshio Miki

社外取締役
External Director

医師/研究者/博士（医学）

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

東京医科歯科大学名誉教授

筑波大学プレシジョンメディスン開発研究センター客員教授

医療法人医誠会ゲノム医療常勤顧問

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

東京通信大学特任教授

田島 照久
Teruhisa Tajima

社外監査役
External Auditor

公認会計士、税理士

会社沿革

- 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。
- 2017年8月 Theragen Bio Co., Ltd.（本社：韓国。旧Theragen Etex Co., Ltd.）の資本参加・業務提携により、株式会社Cancer Precision Medicineを合併会社化。
- 2017年11月 当社を吸収分割会社、株式会社Cancer Precision Medicineを吸収分割承継会社とし、腫瘍免疫解析部を会社分割（簡易分割）。
- 2019年9月 フランスでの治験終了に伴い、連結子会社Laboratoires OncoTherapy Science France S.A.R.L.を清算終了。
- 2022年4月 東京証券取引所の市場区分の見直しにより、東京証券取引所のマザーズ市場からグロース市場に移行
- 2023年1月 神奈川県川崎市川崎区に本店及び研究開発拠点（ラボ）を移転。

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。
国立大学法人東京大学	当社は譲渡の対価として、一定額の契約一時金を支払う。 上記特許を受ける権利に係る発明を当社が使用して得た収入の一定額を支払う。 当社が上記特許を受ける権利を第三者に実施させ、当該第三者から収受した実施料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>

※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(2024年6月)を予定しています。