



2023年12月期 決算短信〔日本基準〕(非連結)

2024年2月9日

上場会社名 オンコリスバイオフーマ株式会社 上場取引所 東
 コード番号 4588 URL http://www.oncolys.com
 代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 浦田 泰生
 問合せ先責任者 (役職名) 取締役 (氏名) 吉村 圭司 (TEL) 03(5472)1578
 定時株主総会開催予定日 2024年3月28日 配当支払開始予定日 —
 有価証券報告書提出予定日 2024年3月29日
 決算補足説明資料作成の有無 : 無
 決算説明会開催の有無 : 有 (アナリスト向け)

(百万円未満切捨て)

1. 2023年12月期の業績(2023年1月1日~2023年12月31日)

(1) 経営成績

(%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2023年12月期	63	△93.5	△1,929	—	△1,913	—	△1,938	—
2022年12月期	976	51.9	△1,204	—	△1,163	—	△1,148	—

	1株当たり 当期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 当期純利益	自己資本 当期純利益率	総資産 経常利益率	売上高 営業利益率
	円 銭	円 銭	%	%	%
2023年12月期	△108.92	—	△107.4	△81.6	—
2022年12月期	△66.31	—	△40.0	△33.5	—

(参考) 持分法投資損益 2023年12月期 一百万円 2022年12月期 一百万円

(2) 財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	百万円	%	円 銭
2023年12月期	2,040	1,474	71.5	74.35
2022年12月期	2,650	2,159	81.2	124.20

(参考) 自己資本 2023年12月期 1,459百万円 2022年12月期 2,151百万円

(3) キャッシュ・フローの状況

	営業活動による キャッシュ・フロー	投資活動による キャッシュ・フロー	財務活動による キャッシュ・フロー	現金及び現金同等物 期末残高
	百万円	百万円	百万円	百万円
2023年12月期	△1,336	△5	1,142	1,287
2022年12月期	△1,717	20	△113	1,466

2. 配当の状況

	年間配当金					配当金総額 (合計)	配当性向	純資産 配当率
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
2022年12月期	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	百万円	%	%
2023年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
2024年12月期(予想)	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—

3. 2024年12月期の業績予想(2024年1月1日~2024年12月31日)

業績予想につきましては、合理的な業績予想の算定が困難なことから公表しておりません。詳細は、添付資料P3「1. 経営成績等の概況(4) 今後の見通し」をご覧ください。

※ 注記事項

(1) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- | | |
|----------------------|-----|
| ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 | : 有 |
| ② ①以外の会計方針の変更 | : 無 |
| ③ 会計上の見積りの変更 | : 無 |
| ④ 修正再表示 | : 無 |

(2) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む）	2023年12月期	19,717,100 株	2022年12月期	17,405,200 株
② 期末自己株式数	2023年12月期	88,738 株	2022年12月期	82,238 株
③ 期中平均株式数	2023年12月期	17,797,360 株	2022年12月期	17,327,407 株

※ 決算短信は公認会計士又は監査法人の監査の対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

（将来に関する記述等についてのご注意）

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、本資料の日付時点において入手可能な情報による判断及び仮定を前提としており、実際の業績は様々な要因により異なる場合があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P3「1. 経営成績等の概況（4）今後の見通し」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 経営成績等の概況	2
(1) 当期の経営成績の概況	2
(2) 当期の財政状態の概況	2
(3) 当期のキャッシュ・フローの概況	3
(4) 今後の見通し	3
(5) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当	3
2. 経営方針	4
(1) 会社の経営の基本方針	4
(2) 目標とする経営指標	4
(3) 中長期的な会社の経営戦略	4
(4) 会社の対処すべき課題	5
3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方	6
4. 財務諸表及び主な注記	7
(1) 貸借対照表	7
(2) 損益計算書	9
(3) 株主資本等変動計算書	10
(4) キャッシュ・フロー計算書	12
(5) 財務諸表に関する注記事項	13
(継続企業の前提に関する注記)	13
(重要な会計方針)	13
(会計方針の変更)	15
(表示方法の変更)	15
(持分法損益等)	15
(収益認識関係)	16
(セグメント情報等)	17
(1株当たり情報)	19
(重要な後発事象)	19
5. 補足情報	20
(1) 研究開発活動	20

1. 経営成績等の概況

(1) 当期の経営成績の概況

当事業年度におけるわが国経済は、2023年12月日銀短観での大企業業況判断Diffusion Index（以下、「DI」）が製造業・非製造業とも市場予測を上回り、幅広い業種で業況判断DIが上昇し良好な結果が示されました。一方で、イスラエル内戦や欧米の政策金利引き上げによる急速な円安進行など、国内外の不安定な状況は今後も継続する見通しのようです。

このような状況下、当社は「未来のがん治療に新たな選択肢を与え、その実績でがん治療の歴史に私たちの足跡を残してゆくこと」をビジョンとし、経営の効率化及び積極的な研究・開発・ライセンス活動を展開致しました。

特に、がんのウイルス療法テロメライシン(OBP-301)を中心に研究・開発・ライセンス活動を推進させています。また、LINE-1阻害剤OBP-601(censavudine)は、Transposon Therapeutics, Inc.（以下「Transposon社」）とのライセンス契約の下、同社の全額費用負担により臨床試験が進められています。

当社活動の詳細に関しては、「5. 補足情報 (1) 研究開発活動」をご確認ください。

当事業年度は、売上高63,038千円（前期は売上高976,182千円）、営業損失1,929,986千円（前期は営業損失1,204,506千円）を計上しました。また、営業外収益として受取利息1,475千円、為替差益27,598千円等を計上し、営業外費用として支払利息3,602千円、株式交付費8,777千円等を計上し、経常損失1,913,816千円（前期は経常損失1,163,008千円）になりました。さらに、固定資産売却益136千円を特別利益、当社が保有するテロメライシンに関する分析装置等の減損損失21,898千円を特別損失として計上した結果、当期純損失1,938,505千円（前期は当期純損失1,148,938千円）を計上しました。

(2) 当期の財政状態の概況

① 資産、負債及び純資産の状況

当事業年度末における資産は、現預金の減少等により2,040,598千円（前期比23.0%減）となりました。負債は、未払金の増加や長期借入金の借入れ等により566,500千円（前期比15.2%増）となりました。純資産は、新株発行による増資や当期純損失等により1,474,097千円（前期比31.7%減）となりました。

② キャッシュ・フローの状況

当事業年度末における現金及び現金同等物は、1,287,763千円（前期比12.2%減）となりました。当事業年度における各キャッシュ・フローは次のとおりです。

(営業活動によるキャッシュ・フロー)

営業活動によるキャッシュ・フローは1,336,922千円の支出（前期は1,717,135千円の支出）となりました。これは主として、税引前当期純損失1,935,578千円、減損損失21,898千円の計上、前払金の減少223,713千円、未収入金の減少123,411千円、未払金の増加132,727千円等によるものです。

(投資活動によるキャッシュ・フロー)

投資活動によるキャッシュ・フローは5,392千円の支出（前期は20,117千円の収入）となりました。これは、主に有形固定資産の取得による支出5,686千円等によるものです。

(財務活動によるキャッシュ・フロー)

財務活動によるキャッシュ・フローは1,142,542千円の収入（前期は113,830千円の支出）となりました。これは主に株式の発行による収入1,223,450千円、長期借入れによる収入100,000千円、長期借入金の返済による支出194,444千円、リース債務の返済による支出4,540千円等によるものです。

(3) 当期のキャッシュ・フローの概況

	2021年 12月期	2022年 12月期	2023年 12月期
自己資本比率(%)	83.6	81.2	71.5
時価ベースの 自己資本比率(%)	213.3	344.4	545.4
キャッシュ・フロー対 有利子負債比率(注4)	—	—	—
インタレスト・ カバレッジ・レシオ(注4)	—	—	—

自己資本比率：自己資本／総資産

時価ベースの自己資本比率：株式時価総額／総資産

キャッシュ・フロー対有利子負債比率：有利子負債比率／キャッシュ・フロー

インタレスト・カバレッジ・レシオ：キャッシュ・フロー／利払い

(注1) 株式時価総額は、期末株価終値×期末発行済株式数(自己株式を除く)により算出しています。

(注2) キャッシュ・フローは、営業キャッシュ・フローを使用しています。

(注3) 有利子負債は貸借対照表に計上されている負債のうち利子を支払っているすべての負債を対象としています。

(注4) 営業キャッシュ・フローがマイナスのため記載していません。

(4) 今後の見通し

当社の業績は、未だ安定した収入基盤は小さく、テロメライシンの国内販売提携契約に伴うマイルストーン収入の有無や、Transposon社とライセンス契約を締結したLINE-1阻害剤OBP-601の開発イベント達成や同社のIPOやM&Aなどのコーポレートアクションにより発生するマイルストーン収入の有無によって大きく変動します。

したがって、現時点では業績に与える未確定な要素が多いことから、業績予想につきましては適正かつ合理的な数値の算出が困難な状況と考えており、開示を控えさせていただきます。また、当社は年次での業績管理を行っているため、第2四半期(累計)での業績予想の開示も控えさせていただきます。

(5) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当

当社は研究開発型ベンチャー企業として、先行投資的な事業資金等を支出してまいりました事により、これまで利益配当を実施していません。しかしながら、株主に対する利益還元を重要な経営課題として認識し、経営基盤の一層の強化と積極的な事業展開に備えた内部留保の充実を勘案しながら、各期の経営成績を考慮に入れて配当政策を決定します。この様な基本方針に従い、当期及び次期の配当については、実施しない予定です。

2. 経営方針

(1) 会社の経営の基本方針

当社は創薬バイオ企業として研究開発先行型の事業を展開しており、独自性の高いがんのウイルス療法薬や重症感染症治療薬などの開発と事業化を推進しています。特に、腫瘍溶解ウイルスであるテロメライシン並びに次世代テロメライシンOBP-702を中心とした「がんのウイルス療法」と、ウイルス感染症治療薬OBP-2011を中心とした「重症ウイルス感染症治療薬」を主な事業領域とした「ウイルス創薬企業」として成長を目指しています。さらに、核酸系逆転写酵素阻害剤のメカニズムを活かしてHIV感染症治療薬として開発して参りましたOBP-601 (censavudine) は、LINE-1阻害剤としてドラッグリポジショニングを行い、ライセンス先のTransposon Therapeutics Inc. (以下「Transposon社」) により神経難病治療薬として開発が進められています。

これまで当社は、パイプラインの開発を初期の臨床試験段階まで進め、その後の開発や販売は製薬企業へライセンスを許諾し、その対価として契約一時金やマイルストーン、ロイヤリティ収入などを得るという事業モデルを展開してきました。しかし、今後は上記のようなライセンス型事業モデルに加えて、国内のテロメライシンに関しては、自社で製造販売承認を得る製薬会社型事業モデルの展開を進めます。

当社は、大手製薬会社の経営方針に依存するライセンス収入だけのビジネスモデルから脱却し、「医薬品を製造販売業者として供給することで継続した収入が得られる製薬会社型事業モデル」と「ライセンス型事業モデル」のハイブリッド型ビジネスモデルへ当社自身を変革させていく方針です。

「オンコリスなしでは医療現場が、ひいては患者様が困る」そういう存在感ある創薬を展開することを基本方針とし、いち早く医療現場の課題解決に貢献してゆきたいと考えています。

(2) 目標とする経営指標

当社は研究開発型の創薬バイオ企業であり、利益が本格的に拡大するのは、現在開発しているパイプラインが上市され、ライセンス契約や販売提携先から商用製剤供給収入やロイヤリティ収入を得る時期となります。したがって、パイプラインの製品価値の評価指標となる初期臨床試験での有効性の証明(Proof of Concept: POC)を得るために必要な当社の研究開発費を重要な経営指標と位置付けています。現段階においては、ライセンス先や販売提携契約先からの契約一時金やマイルストーンによる収入を拡大させるために、パイプラインの価値を最大化すると共に財務リスクの低減を図りながら、早期の安定黒字化を目指しています。

(3) 中長期的な会社の経営戦略

当社は基本戦略として、前臨床から臨床試験への効率的な進捗を実現するために、アウトソーシングを活用したファブレス経営モデルを構築し、創薬研究開発のプロジェクトマネジメントに精通した人財を重点的に採用・育成しています。迅速な開発ステージアップを行いパイプラインの価値を最大化することによって、より良い条件で大手製薬企業・バイオ企業にライセンス契約や販売提携契約を締結することを可能とします。

当社は、契約金や上市後のロイヤリティ収入を得るライセンス型事業モデルと、自社で製造販売承認を得て商用製剤を販売提携先の製薬会社に供給して収入を得る製薬会社型事業モデルを、パイプラインの状況や対象地域に応じて選択する「ハイブリッド型」で事業を展開する方針です。今後も、パイプラインの迅速な開発ステージアップを行い、複数のパイプラインから収入を具現化することで、経常的な収入基盤の構築に努めてまいります。

(4) 会社の対処すべき課題

当社は、組織戦略において下記を重要な課題として取り組んでおります。

a. 経営理念の浸透

当社のビジョンは、「未来のがん治療に新たな選択肢を与え、その実績ががん治療の歴史に私たちの足跡を残してゆくこと」です。私たちが求めて止まないのは、医療の“イノベーション”です。そのために、普段からの医学研鑽を惜しみません。少人数で大きな仕事を成し遂げてこそ、アドベンチャーと言えるでしょう。大企業にできないことこそ、私たちが成し遂げるべき目標です。いくら儲かるからではなく、どれだけの人を救えるかに価値観をもち、その結果としての利益を追求してゆきたいと考えます。経営者と社員だけではなく、株主様ともこの意識を共有してゆきます。常に透明な経営を心がけ、定期的な情報公開を行ってゆきます。社会貢献を目指す社会人として、常にコンプライアンスの遵守を心がけます。この経営理念を役職員に浸透させ、経営理念に基づいた経営戦略の遂行を柔軟且つ活気を持って執り行う組織を構築することが、重要な経営課題です。そのために、経営理念を具現化するための行動規範を策定し、役職員に行動規範の遵守を指導するとともに、経営トップが役職員に経営理念を語る機会を積極的に設定しています。その上で、研究開発部門と事業開発部門が一元的に情報を共有することを第一義に組織を構築しています。また、社内リソースを管理する管理部門は、常にステークホルダーを意識し、コンプライアンス遵守を徹底します。さらに、内部監査部門は、経営理念及び行動規範の浸透状況をはじめとするモニタリング機能を充実させていきます。

b. 人財の確保と成長

役職員個々の自発的な成長こそが当社の成長を支える必須要素です。その実現のために人財の採用・育成を積極的に推進します。特に、当社の研究開発やビジネスは国内外に渡るため、英語能力をはじめ国際的視野を持つ人財を育てることが重要です。社内外ネットワークを活用し、確かな技術・能力・成長意欲のある人財の採用を行い、併せてOJTや各種研修プログラムによる人財育成を行うことで、陣容の充実を図ります。また、業績評価や株式報酬制度を充実させ、業務のスピード及び質を最大化することに努めます。

c. 研究開発体制の強化

当社の研究開発は、医薬品及び検査薬候補の探索・創製から前臨床試験及び初期臨床試験（POC: Proof of Concept）までを中心とし、前臨床から臨床段階への橋渡し（TR: Translational Research）が主業務です。従って、研究開発計画の企画立案並びにその進捗管理を主たる業務とするプロジェクトリーダーを担える人財の確保並びに育成が重要な課題です。当社の研究開発体制は、国内のみならず海外にも展開しております。当社100%子会社Oncolys USA Inc.（以下「OUS」）の臨床開発部門との連携を充実させ、世界の医療や研究機関との共同研究開発を通じて先進技術を取り込み、技術レベルの向上を図るとともに、アウトソーシング先を積極的に活用し、ローコスト且つハイレベルな研究開発体制の構築を行います。

d. 事業開発部門の強化

当社は、遺伝子改変ウイルス製剤を用いたがんのウイルス療法と重症ウイルス感染治療薬を事業領域に定めており、この業界においては非常に特殊なウイルス創薬の事業化を目指しています。従って、ビジネス能力だけでなく科学的知識の豊富な人財を確保・育成し、世界の製薬企業とのネットワークをより強固なものにしていきます。さらに、当社の米国子会社であるOncolys USA社との連携を強化することで海外製薬企業とのライセンスや共同開発の機会を数多く創出し、当社のキャッシュ・フロー獲得に貢献できる事業開発体制を構築します。

e. アウトソーシング戦略

アウトソーシングを主体とする当社のビジネスにおいて、その効率化は重要な課題であります。必要且つ十分な研究開発及び製造力の確保に向け、外部委託会社であるCRO（Contract Research Organization）及びCMO（Contract Manufacturing Organization）との関係を強化するために、定期訪問等による綿密なコンタクト体制をとるべく全組織に啓蒙しています。また、常に最良のアウトソーシング体制を確保するべく、各々の業務

領域において特定の1社依存にならぬよう、セカンドコントラクターの探索及び関係構築も行います。

3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方

当社は連結財務諸表を作成していないため、国際会計基準に基づく財務諸表を作成するための体制整備の負担等を考慮し、日本基準に基づき財務諸表を作成しております。

4. 財務諸表及び主な注記

(1) 貸借対照表

(単位：千円)

	前事業年度 (2022年12月31日)	当事業年度 (2023年12月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	1,711,280	1,532,844
製品	8,434	—
仕掛品	12,666	—
貯蔵品	3,149	5,342
前払金	506,316	282,602
前払費用	47,970	33,338
関係会社短期貸付金	39,813	—
未収入金	174,310	51,781
未収還付法人税等	28,299	—
未収消費税等	75,982	49,964
立替金	29	—
その他	501	9
流動資産合計	2,608,754	1,955,883
固定資産		
有形固定資産		
建物	2,794	3,128
減価償却累計額	△2,794	△3,128
建物（純額）	—	—
機械及び装置	—	924
減価償却累計額	—	△924
機械及び装置（純額）	—	—
工具、器具及び備品	65,939	66,967
減価償却累計額	△65,939	△66,967
工具、器具及び備品（純額）	—	—
有形固定資産合計	—	—
投資その他の資産		
関係会社株式	20,936	20,936
出資金	100	100
関係会社長期貸付金	—	42,549
敷金及び保証金	21,149	20,990
長期前払費用	—	135
その他	19	4
投資その他の資産合計	42,204	84,714
固定資産合計	42,204	84,714
資産合計	2,650,959	2,040,598

(単位：千円)

	前事業年度 (2022年12月31日)	当事業年度 (2023年12月31日)
負債の部		
流動負債		
短期借入金	227,776	127,776
リース債務	3,581	7,565
未払金	60,858	193,354
未払費用	17,099	19,119
未払法人税等	2,931	18,844
預り金	9,392	11,870
流動負債合計	321,639	378,531
固定負債		
長期借入金	155,544	161,100
リース債務	6,758	18,729
退職給付引当金	7,748	8,140
固定負債合計	170,051	187,969
負債合計	491,690	566,500
純資産の部		
株主資本		
資本金	3,000,000	3,623,165
資本剰余金		
資本準備金	586,425	1,209,590
資本剰余金合計	586,425	1,209,590
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△1,434,694	△3,373,199
利益剰余金合計	△1,434,694	△3,373,199
自己株式	△142	△142
株主資本合計	2,151,589	1,459,413
新株予約権	7,680	14,683
純資産合計	2,159,269	1,474,097
負債純資産合計	2,650,959	2,040,598

(2) 損益計算書

(単位：千円)

	前事業年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当事業年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
売上高	976,182	63,038
売上原価		
役務原価	637,695	32,433
製品期首棚卸高	8,434	8,434
合計	8,434	8,434
製品他勘定振替高	—	8,434
製品期末棚卸高	8,434	—
売上総利益	338,487	30,604
販売費及び一般管理費	1,542,993	1,960,591
営業損失(△)	△1,204,506	△1,929,986
営業外収益		
受取利息	587	1,475
受取配当金	3	3
助成金収入	—	2,953
為替差益	62,639	27,598
その他	37	177
営業外収益合計	63,267	32,208
営業外費用		
支払利息	3,945	3,602
譲渡制限付株式報酬償却	17,793	629
新株予約権発行費	—	3,029
株式交付費	30	8,777
その他	0	—
営業外費用合計	21,769	16,038
経常損失(△)	△1,163,008	△1,913,816
特別利益		
債権売却益	21,406	—
固定資産売却益	—	136
特別利益合計	21,406	136
特別損失		
減損損失	4,403	21,898
特別損失合計	4,403	21,898
税引前当期純損失(△)	△1,146,005	△1,935,578
法人税、住民税及び事業税	2,932	2,926
法人税等合計	2,932	2,926
当期純損失(△)	△1,148,938	△1,938,505

(3) 株主資本等変動計算書

前事業年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

(単位：千円)

	株主資本							自己株式	株主資本合計
	資本金	資本剰余金			利益剰余金		利益剰余金 合計		
		資本準備金	その他資本剰余 金	資本剰余金 合計	その他利益 剰余金 繰越利益 剰余金				
当期首残高	9,039,516	9,031,904	31,740	9,063,645	△14,516,735	△14,516,735	△113	3,586,312	
会計方針の変更による累積的影響額					△285,756	△285,756		△285,756	
会計方針の変更を反映した当期首残高	9,039,516	9,031,904	31,740	9,063,645	△14,802,491	△14,802,491	△113	3,300,556	
当期変動額									
減資	△6,039,516	△8,445,478	14,484,995	6,039,516				—	
欠損填補			△14,516,735	△14,516,735	14,516,735	14,516,735		—	
当期純損失(△)					△1,148,938	△1,148,938		△1,148,938	
自己株式の取得							△28	△28	
当期変動額合計	△6,039,516	△8,445,478	△31,740	△8,477,219	13,367,797	13,367,797	△28	△1,148,966	
当期末残高	3,000,000	586,425	—	586,425	△1,434,694	△1,434,694	△142	2,151,589	

	新株予約権	純資産合計
当期首残高	7,680	3,593,992
会計方針の変更による累積的影響額		△285,756
会計方針の変更を反映した当期首残高	7,680	3,308,236
当期変動額		
減資		—
欠損填補		—
当期純損失(△)		△1,148,938
自己株式の取得		△28
当期変動額合計	—	△1,148,966
当期末残高	7,680	2,159,269

当事業年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

(単位：千円)

	株主資本						株主資本合計
	資本金	資本剰余金		利益剰余金		自己株式	
		資本準備金	資本剰余金 合計	その他利益 剰余金 繰越利益 剰余金	利益剰余金 合計		
当期首残高	3,000,000	586,425	586,425	△1,434,694	△1,434,694	△142	2,151,589
当期変動額							
新株の発行	623,165	623,165	623,165				1,246,330
当期純損失(△)				△1,938,505	△1,938,505		△1,938,505
株主資本以外の項目 の当期変動額(純 額)							
当期変動額合計	623,165	623,165	623,165	△1,938,505	△1,938,505	—	△692,175
当期末残高	3,623,165	1,209,590	1,209,590	△3,373,199	△3,373,199	△142	1,459,413

	新株予約権	純資産合計
当期首残高	7,680	2,159,269
当期変動額		
新株の発行		1,246,330
当期純損失(△)		△1,938,505
株主資本以外の項目 の当期変動額(純 額)	7,003	7,003
当期変動額合計	7,003	△685,172
当期末残高	14,683	1,474,097

(4) キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前事業年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当事業年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税引前当期純損失 (△)	△1,146,005	△1,935,578
減価償却費	914	2,286
減損損失	4,403	21,898
譲渡制限付株式報酬償却	17,793	629
債権売却益	△21,406	—
株式報酬費用	58,134	9,433
退職給付引当金の増減額 (△は減少)	1,992	391
受取利息及び受取配当金	△590	△1,478
支払利息	3,945	3,602
新株予約権発行費	—	3,029
株式交付費	30	8,777
為替差損益 (△は益)	△72,723	△24,090
売上債権の増減額 (△は増加)	352,148	—
棚卸資産の増減額 (△は増加)	△12,593	18,907
前払費用の増減額 (△は増加)	14,168	4,437
未収入金の増減額 (△は増加)	△198,392	123,411
未収消費税等の増減額 (△は増加)	△55,677	28,015
前払金の増減額 (△は増加)	△272,301	223,713
未払金の増減額 (△は減少)	△45,371	132,727
契約負債の増減額 (△は減少)	△285,756	—
その他	△54,970	20,812
小計	△1,712,259	△1,359,074
利息及び配当金の受取額	553	616
利息の支払額	△3,962	△3,836
法人税等の支払額又は還付額 (△は支払)	△1,466	25,372
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,717,135	△1,336,922
投資活動によるキャッシュ・フロー		
定期預金の預入による支出	△1	△1
債権の売却による収入	21,406	—
有形固定資産の取得による支出	△1,358	△5,686
有形固定資産の売却による収入	—	136
敷金及び保証金の回収による収入	71	159
投資活動によるキャッシュ・フロー	20,117	△5,392
財務活動によるキャッシュ・フロー		
短期借入金の純増減額 (△は減少)	△100,000	—
長期借入れによる収入	100,000	100,000
長期借入金の返済による支出	△111,104	△194,444
リース債務の返済による支出	△2,667	△4,540
株式の発行による収入	—	1,223,450
新株予約権の発行による収入	—	18,076
自己株式の取得による支出	△28	—
その他の支出	△30	—
財務活動によるキャッシュ・フロー	△113,830	1,142,542
現金及び現金同等物に係る換算差額	67,413	21,334
現金及び現金同等物の増減額 (△は減少)	△1,743,434	△178,437
現金及び現金同等物の期首残高	3,209,635	1,466,201
現金及び現金同等物の期末残高	1,466,201	1,287,763

(5) 財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(重要な会計方針)

1. 有価証券の評価基準及び評価方法

(1) 子会社株式及び関連会社株式

移動平均法による原価法

(2) その他有価証券

市場価格のない株式等以外のもの

時価法(評価差額は全部純資産直入法により処理し、売却原価は移動平均法により算定)

市場価格のない株式等

移動平均法による原価法

2. 棚卸資産の評価基準及び評価方法

製品

個別法による原価法(貸借対照表価額については収益性の低下に基づく簿価切り下げの方法により算定)

仕掛品

個別法による原価法(貸借対照表価額については収益性の低下に基づく簿価切り下げの方法により算定)

貯蔵品

個別法による原価法(貸借対照表価額については収益性の低下に基づく簿価切り下げの方法により算定)

3. 固定資産の減価償却の方法

(1) 有形固定資産(リース資産を除く)

建物及び2016年4月1日以後に取得した付属設備並びに構築物については定額法、その他については定率法
なお、主な耐用年数は以下のとおりであります。

建物 3～15年

工具、器具及び備品 3～8年

(2) 無形固定資産(リース資産を除く)

定額法

なお、自社利用のソフトウェアについては社内における利用可能期間(5年)に基づく定額法

(3) リース資産

リース期間を耐用年数とし、残存価額を零とする定額法

4. 繰延資産の処理方法

株式交付費

支出時に全額費用処理しております。

5. 外貨建の資産及び負債の本邦通貨への換算基準

外貨建金銭債権債務は、期末日の直物為替相場により円貨に換算し、換算差額は損益として処理しております。

6. 引当金の計上基準

(1) 貸倒引当金

債権の貸倒れによる損失に備えるため、一般債権については貸倒実績率により、貸倒懸念債権等特定の債権については個別に回収可能性を勘案し、回収不能見込額を計上しております。

(2) 退職給付引当金

従業員の退職給付に備えるため、退職給付引当金及び退職給付費用の計算に、退職給付に係る期末自己都合要支給額を退職給付債務とする方法を用いた簡便法を適用しております。

7. 重要な収益及び費用の計上基準

当社の顧客との契約から生じる収益に関する主要な事業における主な履行義務の内容及び当該履行義務を充足する通常の時点（収益を認識する通常の時点）は以下のとおりであります。

(1) ライセンス契約に基づく収入

当社は医薬品のライセンス導出契約の締結に伴う契約一時金、マイルストーン収入、治験薬販売及び製造開発負担金等による収益を得ております。契約締結から終了までの履行義務が一時点で充足される場合には、履行義務が充足された時点で収益計上し、一時点で充足されない場合には、契約負債として計上し、履行義務の充足に従い契約期間にわたって収益を認識しております。また、顧客との契約における対価に変動対価が含まれている場合には、変動対価の額に関する不確実性が事後的に解消される際に、解消される時点までに計上された収益の著しい減額が発生しない可能性が高い部分に限り、取引価格に含めております。

(2) その他の収益

当社は他の研究機関に対して医薬品の製造受託による収益を認識しております。製造受託による収入は製造品を顧客に引き渡し、検収が完了した時点で、支配が顧客に移転し、履行義務が充足されることから、当該時点で収益を認識しております。

8. キャッシュ・フロー計算書における資金の範囲

手許現金、随時引き出し可能な預金及び容易に換金可能であり、かつ、価値の変動について僅少なリスクしか負わない取得日から3ヶ月以内に償還期限の到来する短期投資からなっております。

9. その他財務諸表作成のための基本となる重要な事項

関連する会計基準の定めが明らかでない場合に採用した会計処理の原則及び手続

譲渡制限付株式報酬制度

当社の譲渡制限付株式報酬制度に基づき、当社の取締役及び従業員に支給した報酬については、対象勤務期間にわたって費用処理しております。

(会計方針の変更)

(時価の算定に関する会計基準の適用指針の適用)

「時価の算定に関する会計基準の適用指針」(企業会計基準適用指針第31号 2021年6月17日。以下「時価算定会計基準適用指針」という。)を当会計年度の期首から適用し、時価算定会計基準適用指針第27-2項に定める経過的な取扱いに従って、時価算定会計基準適用指針が定める新たな会計方針を将来にわたって適用することとしております。なお、財務諸表に与える影響はありません。

(表示方法の変更)

(キャッシュ・フロー計算書)

前会計年度において、「営業活動によるキャッシュ・フロー」の「その他」に含めていた「株式交付費」は、当会計年度において金額的重要性が増加したため独立掲記することとしました。

この結果、前会計年度の「営業活動によるキャッシュ・フロー」の「その他」に表示していた△54,940千円は、「株式交付費」30千円、「その他」△54,970千円として組み替えております。

(持分法損益等)

該当事項はありません。

(収益認識関係)

1. 顧客との契約から生じる収益を分解した情報

前事業年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

(単位: 千円)

一時点で移転される財又はサービス	63,075
一定の期間にわたり移転される財又はサービス	913,107
顧客との契約から生じる収益	976,182
その他の収益	—
外部顧客への売上高	976,182

当事業年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

(単位: 千円)

一時点で移転される財又はサービス	63,038
一定の期間にわたり移転される財又はサービス	—
顧客との契約から生じる収益	63,038
その他の収益	—
外部顧客への売上高	63,038

2. 顧客との契約から生じる収益を理解するための基礎となる情報

(重要な会計方針) 7. 重要な収益及び費用の計上基準に記載のとおりであります。

3. 顧客との契約に基づく履行義務の充足と当該契約から生じるキャッシュ・フローとの関係並びに当該契約から生じる当事業年度末において存在する顧客との契約から翌事業年度以降に認識すると見込まれる収益の金額及び時期に関する情報

(1) 契約資産及び契約負債の残高等

契約資産及び契約負債の残高が存在しないため、記載を省略しております。

(2) 残存履行義務に配分した取引価格

当社において、個別の予想契約期間が1年を超える重要な取引がないため、実務上の簡便法を使用し、残存履行義務に関する情報の記載を省略しております。

(セグメント情報等)

a. セグメント情報

当社は、創薬事業の単一セグメントであるため、記載を省略しております。

b. 関連情報

前事業年度(自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)

1. 製品及びサービスごとの情報

製品及びサービスの区分が報告セグメント区分と同一であるため、記載を省略しております。

単一の製品・サービスの区分の外部顧客への売上高が損益計算書の売上高の90%を超えるため、記載を省略しています。

2. 地域ごとの情報

(1) 売上高

(単位：千円)

日本	米国	その他アジア	合計
950,394	25,788	—	976,182

(注) 売上高は顧客の所在地を基礎とし、国又は地域に分類しております。

(2) 有形固定資産

本邦以外に所在している有形固定資産がないため該当事項はありません。

3. 主要な顧客ごとの情報

(単位：千円)

顧客の名称又は氏名	売上高	関連するセグメント名
中外製薬株式会社	913,107	創薬事業
岡山大学	37,287	創薬事業
Transposon Therapeutics	25,788	創薬事業

当事業年度(自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)

1. 製品及びサービスごとの情報

製品及びサービスの区分が報告セグメント区分と同一であるため、記載を省略しております。

単一の製品・サービスの区分の外部顧客への売上高が損益計算書の売上高の90%を超えるため、記載を省略しています。

2. 地域ごとの情報

(1) 売上高

(単位：千円)

日本	米国	その他アジア	合計
35,000	28,038	—	63,038

(注) 売上高は顧客の所在地を基礎とし、国又は地域に分類しております。

(2) 有形固定資産

本邦以外に所在している有形固定資産がないため該当事項はありません。

3. 主要な顧客ごとの情報

(単位：千円)

顧客の名称又は氏名	売上高	関連するセグメント名
岡山大学	35,000	創薬事業
Transposon Therapeutics	28,038	創薬事業

c. 報告セグメントごとの固定資産の減損損失に関する情報

当社は、創薬事業の単一セグメントであるため、記載を省略しております。

d. 報告セグメントごとののれんの償却額及び未償却残高に関する情報

当社は、創薬事業の単一セグメントであるため、記載を省略しております。

e. 報告セグメントごとの負ののれん発生益に関する情報

当社は、創薬事業の単一セグメントであるため、記載を省略しております。

(1株当たり情報)

	前事業年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当事業年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
1株当たり純資産額	124.20円	74.35円
1株当たり当期純損失金額(△)	△66.31円	△108.92円

- (注) 1. 潜在株式調整後1株当たり当期純利益金額については、潜在株式は存在するものの、1株当たり当期純損失金額であるため記載しておりません。
2. 1株当たり当期純損失金額の算定上の基礎は、以下のとおりであります。

	前事業年度 (自 2022年1月1日 至 2022年12月31日)	当事業年度 (自 2023年1月1日 至 2023年12月31日)
1株当たり当期純損失金額		
当期純損失(△)(千円)	△1,148,938	△1,938,505
普通株主に帰属しない金額(千円)	—	—
普通株式に係る当期純損失(△)(千円)	△1,148,938	△1,938,505
期中平均株式数(株)	17,327,407	17,797,360

(重要な後発事象)

新株予約権の行使による増資

2024年1月1日から2024年1月31日までの間に、第19回新株予約権(行使価額修正条項付)の一部について以下のとおり権利行使がありました。

(1) 行使された新株予約権の個数	947個
(2) 発行した株式の種類及び株式数	普通株式 94,700株
(3) 行使価額の総額	49,160千円
(4) 資本金増加額	24,869千円
(5) 資本準備金増加額	24,869千円

- (注) 1. (4)資本金増加額及び(5)資本準備金増加額には、新株予約権の振替額288千円がそれぞれ含まれております。
2. 上記の新株予約権の行使による新株の発行の結果、2024年1月31日現在の発行済株式総数は19,811,800株、資本金は3,648,034千円、資本準備金は1,234,459千円となっております。

5. 補足情報

(1) 研究開発活動

当社の当事業年度における創薬事業の研究開発費は、1,351,940千円となりました。なお、当事業年度における研究開発活動の状況は以下の通りです。

1) 研究開発体制について

2023年12月31日現在、研究開発部門は19名在籍しており、これは総従業員数の47.5%に当たります。

2) 研究開発並びにビジネス活動について

当社は、以下のプロジェクトを中心に研究開発並びにビジネス活動を進めました。

①がんのウイルス療法テロメライシン(OBP-301, 国際一般名称:suratadenoturev)に関する活動

テロメライシンは、日本国内で厚生労働省より再生医療等製品の「先駆け審査指定」を受けて「放射線併用による食道がんPhase 2 臨床試験」を実施し、2023年10月に専門委員会を経てトップラインデータを開示しました。この結果を基に、2024年の国内でのテロメライシンの新薬承認申請に向けたPMDAとの折衝を行う計画です。テロメライシンの供給面では、商用スケールのウイルス製造開発を進め、2023年11月にプロセスバリデーションの製造を開始し、2024年には商用製造を行う計画です。また、2023年12月には三井倉庫ホールディングス株式会社（以下、「三井倉庫HD」）とテロメライシンの国内製造所に関する契約を締結しました。さらに、テロメライシンの製造販売体制の整備を進め、2024年2月には富士フィルム富山化学株式会社（以下、「富士フィルム富山化学」）とテロメライシンの販売提携契約を締結しました。この結果、ベルギーのヘノジェン社で製造したテロメライシンを日本国内へ輸入し、国内製造所である三井倉庫HDで最終製品化し、富士フィルム富山化学を通じて医療現場へ届けるサプライチェーンが構築できました。

一方、海外では、米国における胃がんを対象としてテロメライシンと免疫チェックポイント阻害剤ペムブロリズマブの共同開発体制を構築するために、コーネル大学と当社、並びにコーネル大学とメルク社の間で、2023年12月に契約が締結されました。本治験はPhase 2 医師主導治験、当社とメルク社で研究開発費を折半し、2024年から投与が開始される計画です。

現在、テロメライシンは、組入れが終了した臨床試験も含めて、以下の4つの臨床試験が国内外で進められています。

- i) 放射線併用食道がんPhase 2 臨床試験
- ii) 抗PD-1抗体ペムブロリズマブ併用胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験
- iii) 免疫チェックポイント阻害剤併用セカンドライン胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験
- iv) 放射線化学療法併用食道がんPhase 1 医師主導治験

上記i)の「放射線併用食道がんPhase 2 臨床試験」は、2019年4月の「先駆け審査制度」の指定に基づき全国17か所の治験実施施設で進められ、2023年10月にトップラインデータを開示しました。なお、同トップラインデータの主な結果は、以下のとおりです。

1) 有効性

主要評価項目である「局所完全奏効率」(L-CR率)は、内視鏡中央判定委員会の評価により41.7% (小数点以下第2位四捨五入。以下同様。)と示されました。この結果は、事前に試験計画書に示された有効性閾値30.2%を上回る結果であることが確認されました。また、副次的評価項目として規定された「局所著効率」(L-RR率。原発巣は完全に消失しなかったものの、著明に縮小が認められた症例)は16.7%を示し、このL-RRを含めた「局所奏効率」([L-CR+L-RR]率)は58.3%を示しました。

さらに、本試験でのデータカットオフ時点での1年生存率は71.4%となり、「食道学会全国登録データ」による放射線単独治療での1年生存率57.4%を上回る成績でした。

2) 安全性

テロメライシンと関連性のある主な副作用は、発熱が51.4%、リンパ球数減少又はリンパ球減少症が48.6%に認められましたが、軽度ないしは中等度または一過性の変化でした。

なお、本臨床試験の結果の解釈に関しては、本試験の専門委員会（治験調整委員会、効果安全性評価委員会、内視鏡中央判定委員会、放射線品質管理委員会、医学専門家、生物統計専門家）の同意も得ています。

上記のトップラインデータ結果を受けて、現在当社は2024年に日本国内でテロメライシンの新薬承認申請を行うべく、PMDAと非臨床試験・臨床試験・製造等に関する事前相談を進めています。

テロメライシンのサプライチェーンに関しては、テロメライシンの新薬承認申請に向けて、ベルギーのヘノジェン社で商用製品製造の開発を進めています。2023年11月にプロセスバリデーションを開始し、承認申請を行う2024年には商用製造を開始する計画です。また、2023年12月に、当社はテロメライシンの製剤を最終包装し保管などを担う国内製造所として、再生医療等製品の取扱いなど先端医療に関する物流分野においても豊富な経験があり、再生医療等製品における品質確保のための知見と実績を有する三井倉庫HDと契約を締結しました。2023年6月にはユーロフィン分析科学研究所（京都市）と契約し、当社の神戸リサーチラボと共に、テロメライシンの最終出荷判定に必要とされる品質試験のバリデーションを開始しています。さらに、最終出荷可能と判定されたテロメライシンを国内で効率的に医療現場へ届けるために、富士フィルム富山化学と2024年2月に販売提携契約を締結しました。

これらの契約により、テロメライシンの海外から国内医療機関までのサプライチェーン全体に対して、高品質かつ安定的に供給できる流通体制の構築を進めていきます。

また、当社は富士フィルム富山化学との販売提携契約の有無にかかわらず、日本国内へテロメライシンを出荷する製造販売業者に位置付けられます。製造販売には、テロメライシン自体の品質・有効性及び安全性に関する薬事承認審査以外に、東京都から「GQP（Good Quality Practice:品質管理の基準）」及び「GVP（Good Vigilance Practice:製造販売後安全管理の基準）」への適合性などの要件に関する審査を受け、再生医療等製品製造販売業の許可を得る必要があります。

当社は、2024年1月に総括製造販売責任者・品質保証責任者・安全管理責任者の製販三役の採用を完了し、「信頼性保証本部」を立ち上げました。今後、GQP及びGVPに適合した体制をさらに整備した上で、当社がテロメライシンの市場への出荷に対し品質保証業務及び安全管理業務に関する最終責任を担う能力を持つことをもって東京都に申請し、テロメライシンの承認申請までに再生医療等製品製造販売業の許可を受ける方針です。

上記ii)の「抗PD-1抗体ペムブロリズマブ併用胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験」は、米国コーネル大学を中心に、過去に治療歴のある最も重症度が高い患者を対象に、テロメライシンと抗PD-1抗体ペムブロリズマブを併用した場合の有効性及び安全性の評価を行うことを目的として、2019年5月から開始されました。これまでに組入れた16例のうち3例で長期生存が確認され、この結果は本試験の有効性を示す基準を満たす結果と判断されました。本治験の中間解析結果は、米国コーネル大学のマニッシュ・シャー医師により2023年6月に開催された米国臨床腫瘍学会（ASCO2023）や2023年11月の米国がん免疫療法学会（SITC2023）で発表されました。

上記iii)の「免疫チェックポイント阻害剤ペムブロリズマブ併用セカンドライン胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験」は、米国コーネル大学が当社の事前合意を得た上で、メルク社へ新たな治験の実施や治験費用の負担を提案し、2023年12月には、当社とコーネル大学の契約、コーネル大学とメルク社の契約が締結され、共同開発体制が構築されました。今後、当社はテロメライシンを、メルク社は免疫チェックポイント阻害剤ペムブロリズマブをコーネル大学に提供します。また、治験費用は当社とメルク社で折半します。なお、本治験は2024年から投与が開始される見込みです。

上記iv)の「放射線化学療法併用食道がんPhase 1 医師主導治験」は、米国の権威あるがん研究組織NRGオンコ

ロジックグループにより、テロメライシンと放射線化学療法を併用した際の安全性と有効性の検討を目的として2021年12月から開始されました。アメリカ国内6施設で実施されており、第一段階の全6例の組み入れが完了し、第二段階では4例が投与されています。これまでに問題となるような副作用は報告されていません。テロメライシンは米国において食道がんのオーファンドラッグ指定を受けており、同指定の下、本治験は実施されています。そのため、補助金の支給や臨床研究費用の税額控除の優遇を受けることができ、さらに、米国においてテロメライシン承認後の7年間は先発権保護が与えられ、その期間中は市場独占権が得られることになっています。

②LINE-1阻害剤OBP-601 (censavudine) に関する活動

2006年にYale大学から導入したOBP-601は、2010年から2014年にかけてBristol-Myers Squibb Co. (以下「BMS社」) へライセンスし、抗HIV薬としてBMS社によりPhase 2b臨床試験が実施され、OBP-601の既存薬との非劣性が示されました。また、BMS社によって、OBP-601の長期毒性試験、がん原性試験や多くの臨床データが得られましたが、BMS社が戦略変更によりHIV領域から撤退したため、ライセンス契約は終了しました。その後、ブラウン大学(米国)の研究結果から、HIVの核酸系逆転写酵素阻害剤(以下「NRTI」)がレトロトランスポゾンの異所性発現を抑制することが示唆されました。その後の研究により、同作用を持つOBP-601が他のNRTIと比べて脳内移行性が高く、またLINE-1という逆転写酵素を強力に阻害してレトロトランスポゾンの産生を強力に抑制するという特長が確認されました。

このメカニズムに着目してOBP-601を神経難病治療薬へ応用しようと計画していたTransposon社との間で、当社は2020年6月に全世界を対象とした総額3億ドル超のライセンス契約を締結し、同年11月にTransposon社は第1回マイルストーンを達成しています。

現在、Transposon社によって「進行性核上性麻痺 (PSP: Progressive Supranuclear Palsy)」とC9 ORFという酵素の異常発現を伴った「筋萎縮性側索硬化症 (ALS: Amyotrophic Lateral Sclerosis) 及び前頭側頭型認知症 (FTD: Frontotemporal Degeneration)」を対象としたプラセボを用いた二重盲検法による2つのPhase 2a臨床試験が欧米の多施設で進められています。また、2023年7月にアイカルディ・ゴーティエ症候群 (AGS: Aicardi-Goutières Syndrome) を対象にした欧州での単群のPhase2a臨床試験の投与が開始されました。

PSPを対象とした臨床試験は2021年11月に1例目への投与が開始され、2022年8月に目標症例数の組入れが完了しました。当社はTransposon社から中間解析結果の報告を受けましたが、その主な内容は下記の通りです。

- ① OBP-601がPSP患者の脳脊髄液中のニューロフィラメント軽鎖 (以下、「NfL」) の上昇を抑制させることが示唆された。
- ② OBP-601は、脳脊髄液中で神経炎症のバイオマーカーであるIL-6 を低下させることが示唆された。
- ③ 現在までに、本臨床試験で試験を中止するような安全性上の問題は報告されていない。

当社は上記のTransposon社からの上記の報告を受け、以下のような考察を行っています。

- ① OBP-601は、血液中ではなく「脳脊髄液」中のNfL値の上昇を抑制させました。この結果はOBP-601が直接中枢神経系の神経損傷を軽減させたと考えられます。
- ② OBP-601は、脳脊髄液中で神経炎症のバイオマーカーであるIL-6 を低下させました。この結果は、OBP-601がLINE-1を阻害することによって神経組織の炎症を抑制していると考えられます。
- ③ 脳脊髄液中のこれらバイオマーカーの変化により、臨床においてもOBP-601が脳内に移行して効果を示すことが示唆されました。

なお、これらの結果は2024年3月に開催されるAD/PD 2024 (国際アルツハイマー病・パーキンソン病学会)にて発表される予定です。

また、C9 ALS/FTDを対象とした臨床試験も2022年1月に投与が開始されました。2023年3月に目標症例数の組入れが完了し、現在組み入れ患者の長期フォローアップを行っています。現在までに、本臨床試験で試験を中止するような安全性上の問題は報告されていません。

さらに、Transposon社は、AGSという小頭症や高度な精神発達遅滞等を呈する遺伝性疾患を対象に、2023年7

月に新たなPhase2a臨床試験の投与を欧州で開始しました。現在までに、本臨床試験で試験を中止するような安全性上の問題は報告されていません。

これらのOBP-601に関する臨床試験は、ライセンス契約に基づき全額Transposon社の費用負担で進められています。なお、Transposon社はOBP-601の開発を目的に設立された企業であり、当社は、Transposon社が戦略変更を理由にOBP-601の開発を中断するリスクは低いと考えています。

③次世代テロメライシンOBP-702に関する活動

OBP-702は、強力な生体内がん抑制遺伝子p53をベクター内に搭載する新規腫瘍溶解ウイルスで、「がん遺伝子治療」と、テロメライシンの持つ「腫瘍溶解作用」を組み合わせた2つの抗腫瘍効果を持つ第二世代のウイルス療法です。国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成金事業を活用して、岡山大学消化器腫瘍外科学・藤原俊義教授の研究グループにより非臨床試験が進められました。特に、ゲムシタビン耐性すい臓癌細胞株のマウスモデルを用いた実験においては、PD-L1抗体を併用することでより強い抗腫瘍効果が確認されています。また、がん治療で問題となっているがん組織の間質系細胞（CAF：Cancer Associated Fibroblast）に対しても殺傷効果を示すことが示されており、今後、間質系細胞によって治療が困難と考えられているすい臓がんなどの難治性がんに対する新しい治療法として開発していくことが期待されます。なお、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへ経営リソースを集中させるために、OBP-702の開発は助成金の範囲内で継続していく予定です。

④ウイルス感染症治療薬OBP-2011に関する活動

当社は、OBP-2011がヌクレオカプシド形成を阻害する新規メカニズムを有する化合物であることを実験結果から推定していますが、現段階ではその詳細なメカニズムは解明されていません。OBP-2011はすでに承認されているコロナ治療薬の主なメカニズムであるポリメラーゼ阻害やプロテアーゼ阻害とは異なるメカニズムであることが推察されており、コロナウイルスの様々な変異株に対して効果が左右されないというデータが得られています。しかし、新型コロナ治療薬の承認ハードルが上昇していること、並びに新型コロナ治療薬の複数上市による緊急性の低下などの外部環境の変化や、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへの経営リソース集中により、開発方針を見直す必要性が生じました。今後は、鹿児島大学と詳細なメカニズム解明を行った上でコロナウイルス以外のRNAウイルスに対する新規適応を検討し、新たなパンデミックに対応できる体制を維持していく考えです。

⑤がん検査薬テロメスキャン（OBP-401）に関する活動

テロメスキャンは、がん患者の血液中を循環している生きたがん細胞（CTC：Circulating Tumor Cells）の検査自動化プラットフォームの確立を目的に、順天堂大学と共同研究講座「低侵襲テロメスキャン次世代がん診断学講座」を2021年6月に開設いたしました。しかし、AIによる画像学習のためには多くの画像取得が必要であり、当初計画と比較して画像取得に時間を要しているため、順天堂大学との開発進捗は遅延しています。なお、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへ経営リソースを集中させるため、優先順位は引き下げられています。

⑥HDAC阻害剤OBP-801に関する活動

2009年にアステラス製薬株式会社から導入したヒストン脱アセチル化酵素（HDAC）阻害剤であるOBP-801は、各種固形がんを対象とした米国でのPhase 1 臨床試験で用量制限毒性（DLT：Dose Limiting Toxicity）が発生し、推定有効量までの投与量の増量が不可能となったため、がん領域の開発を中断しました。なお、OBP-801は2023年9月に日本国内での分子標的併用腫瘍治療・予防薬としての特許査定を受けています。

一方、新規適応領域である眼科領域では、京都府立医科大学眼科学教室の実験において、緑内障手術を行った際に形成される濾過胞の線維化抑制作用が認められ、2023年4月の日本眼科学会や2023年4月に開催されたARVO（視覚と眼科学研究協会学会）で研究結果が発表されました。今後は点眼剤での開発が期待されています。なお、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへ経営リソースを集中させるため、優先順位は引き下げられています。

主なパイプラインの開発状況は、以下のとおりです。

開発品	適応疾患	併用療法	開発地域	開発ステージ
テロメライシン (OBP-301) (suratadenoturev)	食道がん	放射線療法	日本	Phase 2 (申請準備中)
		放射線化学療法	米国	Phase 1
		抗PD-1抗体ペムブロリズマブ	日本	Phase 1 (論文準備中)
	胃がん・ 胃食道接合部がん	抗PD-1抗体ペムブロリズマブ	米国	Phase 2 (論文準備中)
		免疫チェックポイント阻害剤ペ ムブロリズマブ	米国	Phase 2
肝細胞がん	単独療法	韓国・台湾	Phase 1 (終了)	
OBP-601 (censavudine)	進行性核上性麻痺 (PSP)	単独療法	米国	Phase 2 a (予後調査中)
	筋萎縮性側索硬化症 (C9-ALS) /前頭側頭型認知症 (FTD)	単独療法	米国・欧州	Phase 2 a (予後調査中)
	アイカルディ・ゴーティエ 症候群 (AGS)	単独療法	欧州	Phase 2 a
OBP-702	固形がん	抗PD-(L)1抗体を想定	日本	前臨床
OBP-2011	ウイルス感染症	未定	日本	前臨床
テロメスキャン (OBP-401)	固形がん	—	日本	臨床研究
OBP-801	緑内障手術後の 濾過胞線維化抑制	—	日本	前臨床