



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（証券コード：4588）

2024年3月26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2025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 テロメライシン (OBP-301) : 腫瘍溶解性アデノウイルス治療薬
- ② censavudine (OBP-601) : 神経難病治療薬
- ③ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- 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

オンコリスバイオフーマは「ウイルス学に立脚した創薬」を事業コンセプトとしている創薬バイオ企業です
「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でいち早く医療に貢献することを目指しています

会社名	オンコリスバイオフーマ株式会社（証券コード：4588）
所在地	東京都港区虎ノ門4-1-28 虎ノ門タワーズオフィス
設立	2004年3月18日
取引市場	東京証券取引所グロース市場（2013年12月6日マザーズ市場上場）
代表	代表取締役 浦田 泰生
従業員数	34名（2023年12月31日時点）
事業内容	腫瘍殺傷ウイルスの研究・開発・製造・販売・輸出入 医薬品及び癌検査薬の研究・開発・製造・販売・輸出入
事業所	神戸リサーチラボ
子会社	Oncolys USA Inc. OPA Therapeutics Inc.



東京本社



神戸リサーチラボ

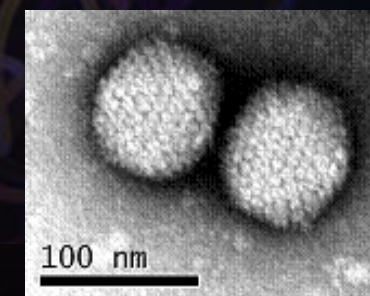


Oncolys USA Inc. (New Jersey)

“Powering Future Oncotherapy”

未来のがん治療に新たな選択肢を！

がん治療の歴史に私たちの足跡を残したい



取締役



浦田 泰生

代表取締役社長・創立者

小野薬品工業で臨床プロジェクトリーダーを経験後、日本たばこ産業で研究開発企画部長として、抗HIV薬 Vilead のプロジェクトリーダーを担当し、厚生労働省から許可取得。2004年にオンコリスバイオファーマを設立。



Oncolys USA Inc.

Talia Biran, M.Sc

複数の外資系製薬会社にて臨床開発部長を経験。Oncolys USA Inc. 社長に就任。現在は、ビジネス活動並びに研究開発活動を担っている。



櫻原 康成 (MBA)

取締役

日本チバガイギー、参天製薬を経験。2005年UMNファーマ代表取締役社長に就任。国内外複数企業にて取締役を経験し、海外製造拠点のマネジメントも務める。



斎藤 泰

社外取締役

日本専売公社（現日本たばこ産業）では、2003年より、たばこ事業本部中国事業部長に就任。アプライドバイオシステムズジャパン、GNIの取締役を経て、当社社外取締役に就任。



飯野 直子

社外取締役

シンバイオ製薬社外取締役、クオリプス代表取締役など複数のヘルスケア企業でマネジメントを経験し、当社社外取締役に就任。現在は、京都府立医科大学、学長補佐エグゼクティブ・フェローを務める。

執行役員

(五十音順)



佐藤 英一郎

経営企画担当執行役員
兼 社長室長



田口 めぐみ

人事担当執行役員 兼
人事戦略部長



秦 耕平

事業企画担当執行役員
兼 事業企画部長



吹野 晃一 (医師)

研究開発担当執行役員
兼 創薬企画部長



米尾 哲治 (公認会計士)

経理・財務担当執行役員
兼 経理・財務部長

監査役会



立谷 勝房

常勤監査役

外務省に入省。副領事として、アメリカやイランに駐在。日本コンピュータービジョンで経理部長、外資系機器メーカーで管理部門を経験。

大木 史郎

社外監査役

小野薬品工業に入社。日本たばこ産業にて執行役員臨床開発部長に従事。現在、富士化学工業顧問。

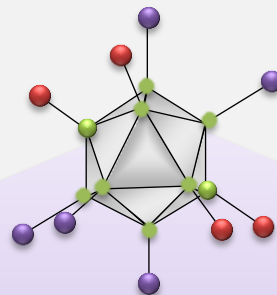
永塚 良知 (弁護士)

社外監査役

1996年 弁護士登録
(第一東京弁護士会)
現在、光和総合法律事務所
パートナー弁護士。

氏名	役職名	担当	性別	企業経営	研究開発	国際性	法務 リスク管理 品質管理 人事	M&A 提携 事業推進	財務 経理
浦田 泰生	代表取締役社長	研究開発/CMC	男性	●	●	●		●	
櫻原 康成	取締役	事業開発/リスク管理	男性		●	●	●	●	
斎藤 泰	社外取締役		男性	●		●		●	●
飯野 直子	社外取締役		女性	●		●		●	
佐藤 英一郎	執行役員	創薬企画	男性			●	●	●	
田口 めぐみ	執行役員	経営企画	女性				●		
秦 耕平	執行役員	事業企画	男性					●	●
吹野 晃一 (医師)	執行役員	人事戦略	男性		●	●			
米尾 哲治	執行役員	経理財務	男性						●
Talia Biran, M.Sc	Oncolys USA Inc. 社長	子会社経営	女性		●	●			
立谷 勝房	常勤監査役		男性			●			●
大木 史郎	社外監査役		男性		●				
永塚 良和	社外監査役		男性				●		

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



ウイルス創薬

がんのウイルス療法

治療選択肢の少ないがん領域へ挑戦

未だ満たされないアンメットメディカルニーズを
充足し、患者のQOLの向上に貢献する



Telomelysin 腫瘍溶解性ウイルス



OBP-702 第二世代テロメライシン

ウイルス感染症治療薬

将来起こり得るパンデミックへの挑戦

新たな感染症治療薬のメカニズムを解明し、
将来のパンデミック・薬剤耐性のニーズに貢献する



OBP-601 HIV治療薬



OBP-2011 ウイルス感染症治療薬

神経難病治療薬

確立された治療法のない疾患への挑戦

根本的な治療薬のない疾患と向き合う患者に
新たな機序の薬を届けることで医療に貢献する



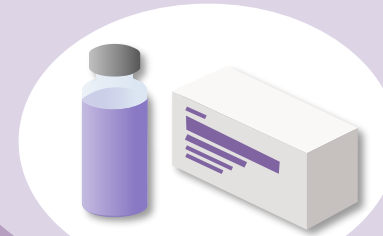
OBP-601[※] 神経難病治療薬

「①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
「②**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。

**ライセンス型
事業モデル**



**製薬会社型
事業モデル**





開発権

製造権

販売権

再ライセンス権


特徴

- ・全ての権利を自社が保有
- ・事業の舵取りを自社で担える

OBP-601

ライセンス型事業モデル


製薬会社型事業モデル



収入： 契約一時金+マイルストーン+ロイヤリティ

特徴： ・全ての権利がライセンスされ、各権利のリスクをライセンス先が負う
・ライセンス先の戦略に依存する（ライセンス返還リスク）

開発権 製造権 販売権 再ライセンス権



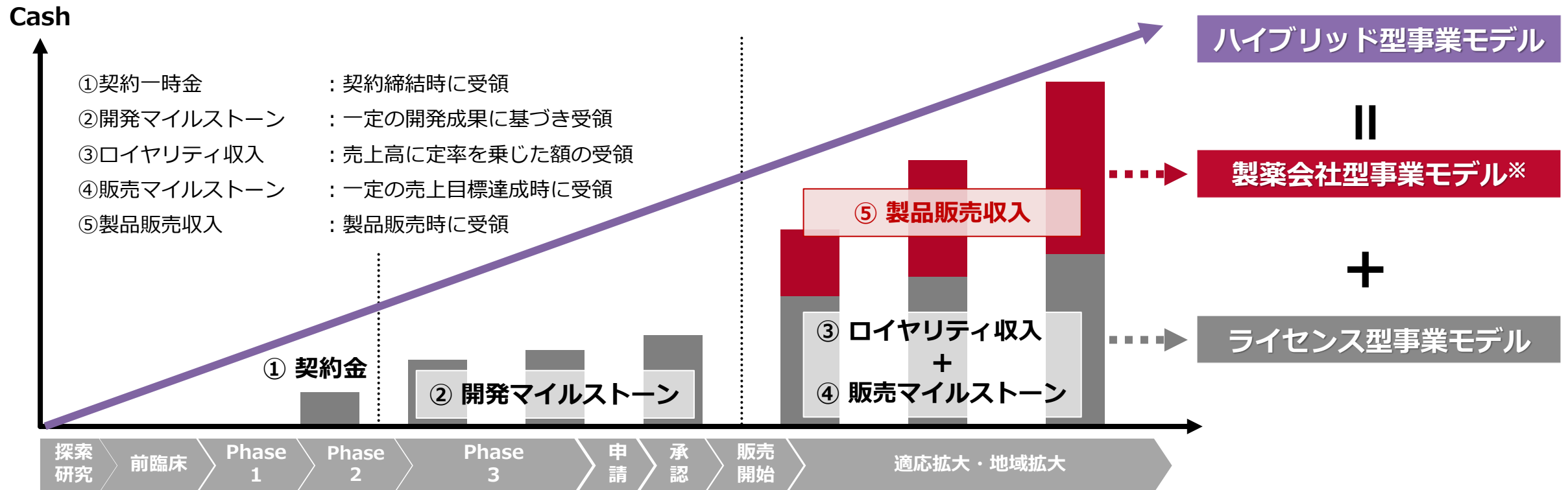
収入： 製品販売収入
ロイヤリティ < 製品販売の粗利率

特徴： ・開発、製造、販売を自社で担うリスクを負う
・事業の舵取りを自社で担うことができる

開発権 製造権 販売権 ※ 再ライセンス権

※ 本来、製薬会社型事業モデルは全ての権利を当社が保有する。しかし、テロメライシンの国内販売体制を当社独自で構築するには多大なコストがかかるため、富士フィルム富山化学へ国内の販売権をライセンスしている

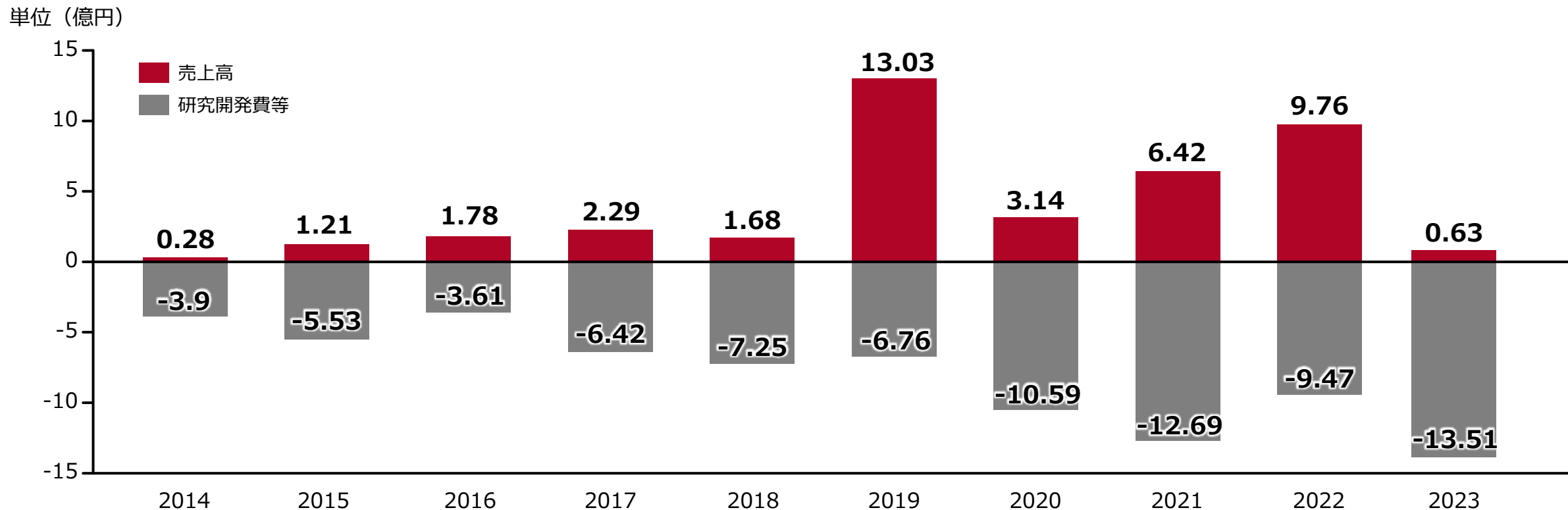
1. バイオベンチャーは、製品的価値の初期評価（POC：Proof of Concept）に基づいて製薬企業等とのライセンス契約を締結し、その対価として契約金やマイルストーン、販売ロイヤリティを受け取る“ライセンス型事業モデル”が基本である
2. 当社は、テロメライシンにおいて国内承認取得後に販売提携先から、主にテロメライシンの製品販売収入を得る“製薬会社型事業モデル”を展開し、“ライセンス型事業モデル”とのハイブリッド型事業モデルを推進していく



※ 製薬会社型事業モデルでは、製品販売収入に加えて、開発/販売マイルストーンも受領する

※ 製薬会社型事業モデル（販売提携等）の契約に伴う収入例はp●参照、ライセンス契約に伴う収入例はp●参照。

1. バイオベンチャーのビジネスモデルは投資資金の回収までに膨大な時間を要し、製品を上市させるために十分な研究開発費を充当し続ける必要がある
2. いち早く医療現場・患者様に薬を届けるため、パイプラインの進捗がビジネスの肝要であり、売上高に対する研究開発費等を重要な経営指標として位置付けている



単位：百万円 (百万円未満切捨て)	2022年12月期 (通期実績)	2023年12月期 (通期実績)	増減要因 その他（対通期予想）
売上高	976	63	・ 中外製薬（株）に対する売上高が減少。
営業利益	△1,204	△1,929	・ 売上高減少に伴う売上総利益の減少（△307）。 ・ 研究開発費の増加。
経常利益	△1,163	△1,913	・ 同上
当期純利益	△1,148	△1,938	・ 同上

2024年の見通しは、以下の事項が業績に与える影響が大きいため開示を控えています

- a. テロメラシンの国内販売提携契約に伴うマイルストーン収入等が不確定
- b. 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及びその発生タイミングが不確定

1. 2022年8月に資金使途を変更した理由

- ① 株価下落により、実際の調達額は想定調達額を10億700万円下回り、33億1100万円に留まった
- ② 2021年10月に中外製薬とテロメライシンのライセンス契約の解消に合意し、想定していた将来収入の喪失など資金計画に変更が生じた
- ③ 円安の影響を受け円ベースでの支払額が増加しています
- ④ 新型コロナ治療薬の承認ハードルは上がり、開発方針の見直しの必要性が出てきた

2. 変更内容

単位：百万円

内容	変更前	変更後	充当額
テロメライシン（OBP-301）の製法開発及び商用製造などの研究開発費	2,168	2,640	1,865
OBP-702の非臨床試験などの研究開発費	1,350	105	95
OBP-2011などの非臨床試験などの研究開発費	800	566	562
実際の調達額 - 想定調達額	△1,007	—	—
合計（実際の調達額）	3,311	3,311	2,522

- ① テロメライシン承認申請のために、製法開発及び商用製造に関する投資を最優先に行い、ユーロ高による支払い額の増加に対応する
- ② 岡山大学のAMED助成金の範囲で開発を継続する。調達資金の当初想定額との差額の発生に伴い、OBP-702の治験薬GMP製造や初期臨床試験への支出を見送り、当該資金をテロメライシンの製法開発及び商用製造の増額に充当する
- ③ OBP-2011の開発を継続し、標的タンパクの特定を進め、製薬会社との共同開発体制を探っていく。但し、治験薬GMP製造及び初期臨床試験への当面の支出を見送り、当該資金をテロメライシンの製法開発及び商用製造の増額に充当する

内容	当初想定※	充当額 (~24年2月)	未充当額
テロメライシンの製造・販売・流通に関する費用	1,127	214	380
テロメライシンの製造販売体制構築や維持等の運転資金	1,048	605	456
合計（実際の調達額）	2,175	819	836

*現時点で第19回新株予約権による資金調達は完了していません。実際の資金調達額が当初想定額を下回った場合は、変更が生じる可能性があります。

資金調達の目的

「**テロメライシンの製造販売体制を確立し、承認取得・上市を実現する**」ことが目的です。

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により、従来のライセンス型事業モデルでは生み出せなかったテロメライシンの商用製造や流通面における付加価値を当社が創出可能になります。

この新しいビジネスモデルへの転換により、従来のモデルと比較して、より大きな収入を得られる可能性が高まると考えておりますが、従来のライセンス型事業モデルでは発生しなかった事業運営資金が生じることになります。

この新たに必要となる事業運営資金の調達を経て、**テロメライシンの承認取得・上市を実現することにより、製薬会社として一層の企業価値向上に繋げていく**考えです。

1. 会社概要

2. 開発パイプライン

- ① テロメライシン (OBP-301) : 腫瘍溶解性アデノウイルス治療薬
- ② censavudine (OBP-601) : 神経難病治療薬
- ③ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- 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

開発品	対象疾患	臨床試験（治験）				申請	承認
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
テロメライシン (OBP-301)	食道がん	先駆け審査制度指定		Phase 2	FUJIFILM 富士フイルム 富山化学株式会社 販売提携	Phase 2データで 国内承認申請予定	
		オーファン指定					
	胃がん						
	肝細胞がん						
censavudine (OBP-601)	PSP*1					TRANSPOSON 導出済	
	C9-ALS*2/FTD*3						
	AGS*4						
OBP-2011	ウイルス感染症						
OBP-702	固形がん						

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

テロメライシン：肝細胞がんについては治験終了した。頭頸部がんについては組入れを中止した。

※1：進行性核上性麻痺、 ※2：筋萎縮性側索硬化症、 ※3：前頭側頭型認知症、 ※4：アICALディ・ゴーティエ症候群

1. 会社概要

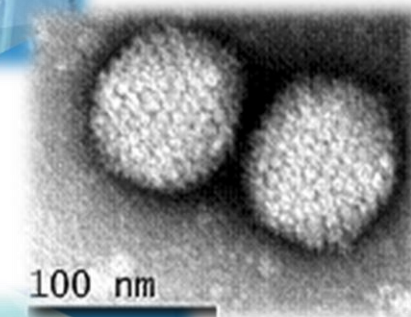
2. 開発パイプライン

- ① テロメライシン (OBP-301) : 腫瘍溶解性アデノウイルス治療薬
- ② censavudine (OBP-601) : 神経難病治療薬
- ③ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- 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

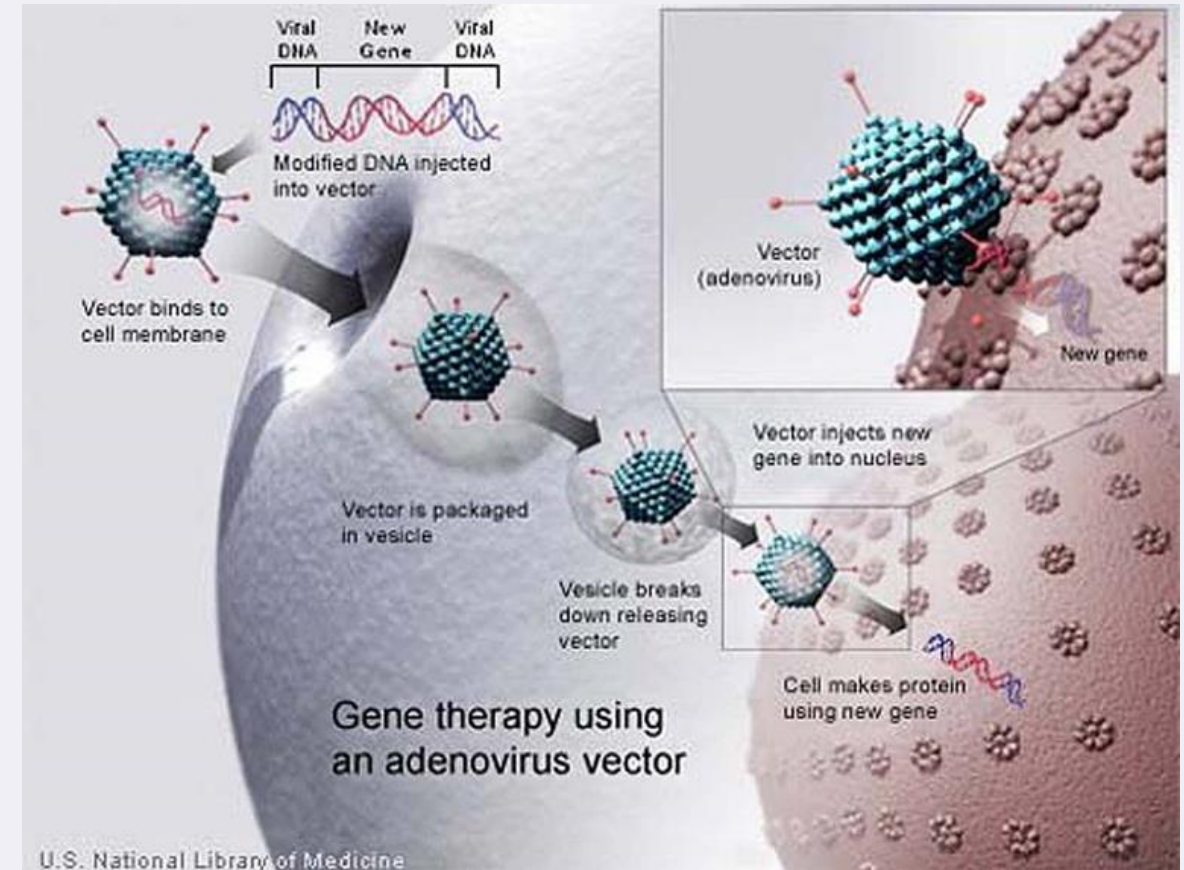
4. リスク情報

- 1 テロメライシンは、アデノウイルスをベースとした腫瘍溶解性ウイルスである
- 2 “がんを切らずに治療する” ことにより、がん治療の歴史を塗り替えていく
- 3 テロメライシンの局所治療効果によりアンメットメディカルニーズの充足を目指す
- 4 食道がん国内Phase2臨床試験で58.3%の局所奏効率が得られている
- 5 “放射線治療との相乗効果” や “アブスコパル効果” などユニークな効果が示唆されている
- 6 これまで、重篤な副作用は認められていない
- 7 先駆け審査指定を利用して、Phase 2 臨床試験データで承認申請を目指している
- 8 承認申請後は適応拡大を検討し、製品ポテンシャルの最大化を図る



ウイルスが、がん細胞でのみ増殖することを利用して細胞を死滅させる治療法である

- 野生型若しくは遺伝子改変ウイルスを利用した遺伝子治療^{※1}の一つである
- アデノウイルス、ヘルペスウイルス、コクサッキーウイルス、ワクシニアウイルス等のウイルスを用いた開発が行われている
- がん細胞内でのみ選択的に増殖し、細胞を溶解する
- 腫瘍溶解性ウイルスによるがん細胞の破壊は、がん抗原の放出を引き起こし、がん免疫を活性化すると考えられている
- 免疫チェックポイント阻害薬（CPI）との併用が、CPI単独の奏効率を上回るデータ^{※2}が存在する



※1 遺伝子治療：疾病の治療を目的として遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること（文部科学省・厚生労働省「遺伝子治療臨床研究に関する指針」より引用）

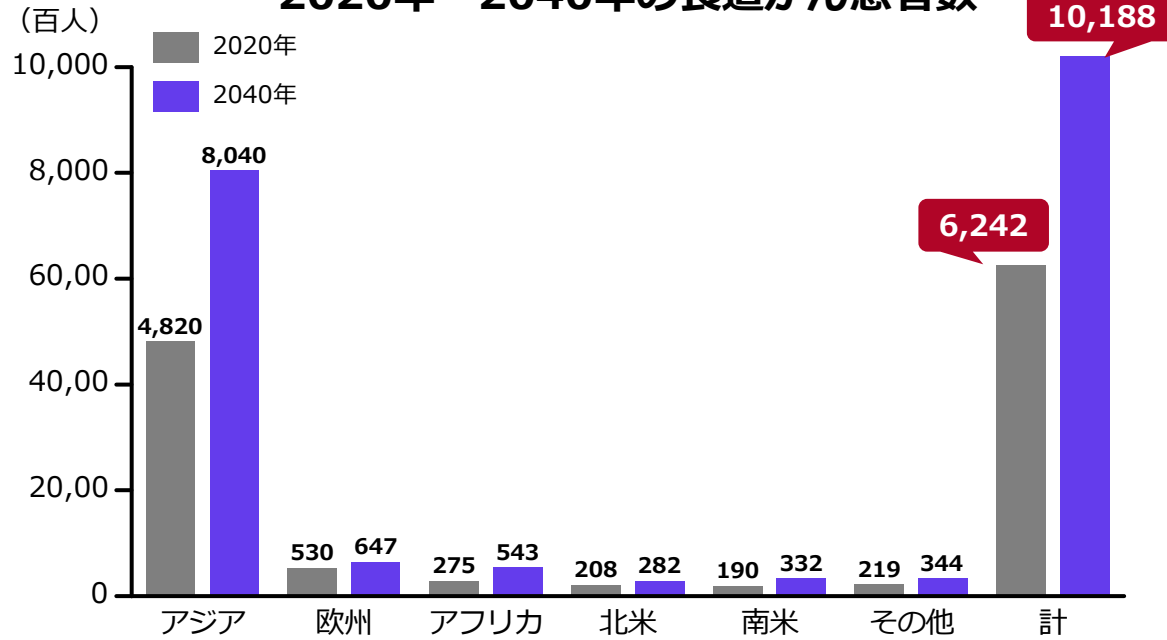
※2 Cell. 2017 Sep 7; 170(6): 1109-1119.e10. 「Oncolytic Virotherapy Promotes Intratumoral T Cell Infiltration and Improves Anti-PD-1 Immunotherapy」

1. 腫瘍溶解性ウイルス治療薬は2024年3月現在、先進国で2剤承認されている
2. アデノウイルス由来の腫瘍溶解性ウイルスは、現在先進国で上市されていない
3. 腫瘍溶解性アデノウイルス製剤は、がん治療における新たなモダリティとして期待されている

ウイルス	製品名・製造/販売会社	承認年/臨床試験Phase	適応	薬価※1
アデノウイルス	テロメライシン (OBP-301) オンコリスバイオファーマ	Phase2 ※先駆け審査指定制度対象品目	食道がん	—
	CG0070 CG Oncology, Inc. (米国) / キッセイ薬品工業	Phase3	BCG療法無効のCISを伴う 筋層非浸潤性膀胱がん	—
	VCN-01 Theriva BIOLOGICS (米国)	Phase2	膵臓がん 等	—
	Load-703 Lokon Pharma社 (スウェーデン)	Phase2	胆管腫瘍、結腸直腸がん 膵臓がん 等	—
	ONCOS-102 Targovax社 (ノルウェー)	Phase2 → 取り下げ	上皮性卵巣がん、悪性黒色腫 悪性胸膜中皮腫 等	—
ヘルペスウイルス (HSV-1)	Imlygic (talimogene laherparepvec) アムジェン	2015年承認 (米国・欧州)	悪性黒色腫 (メラノーマ)	65,000ドル/治療 約975万円
	デリタクト (teserpaturev) 第一三共	2021年承認 (日本)	悪性神経膠腫	約143万円/投与 投与6回まで (最大約858万円)

※1: 1ドル150円換算

世界各地域における 2020年・2040年の食道がん患者数



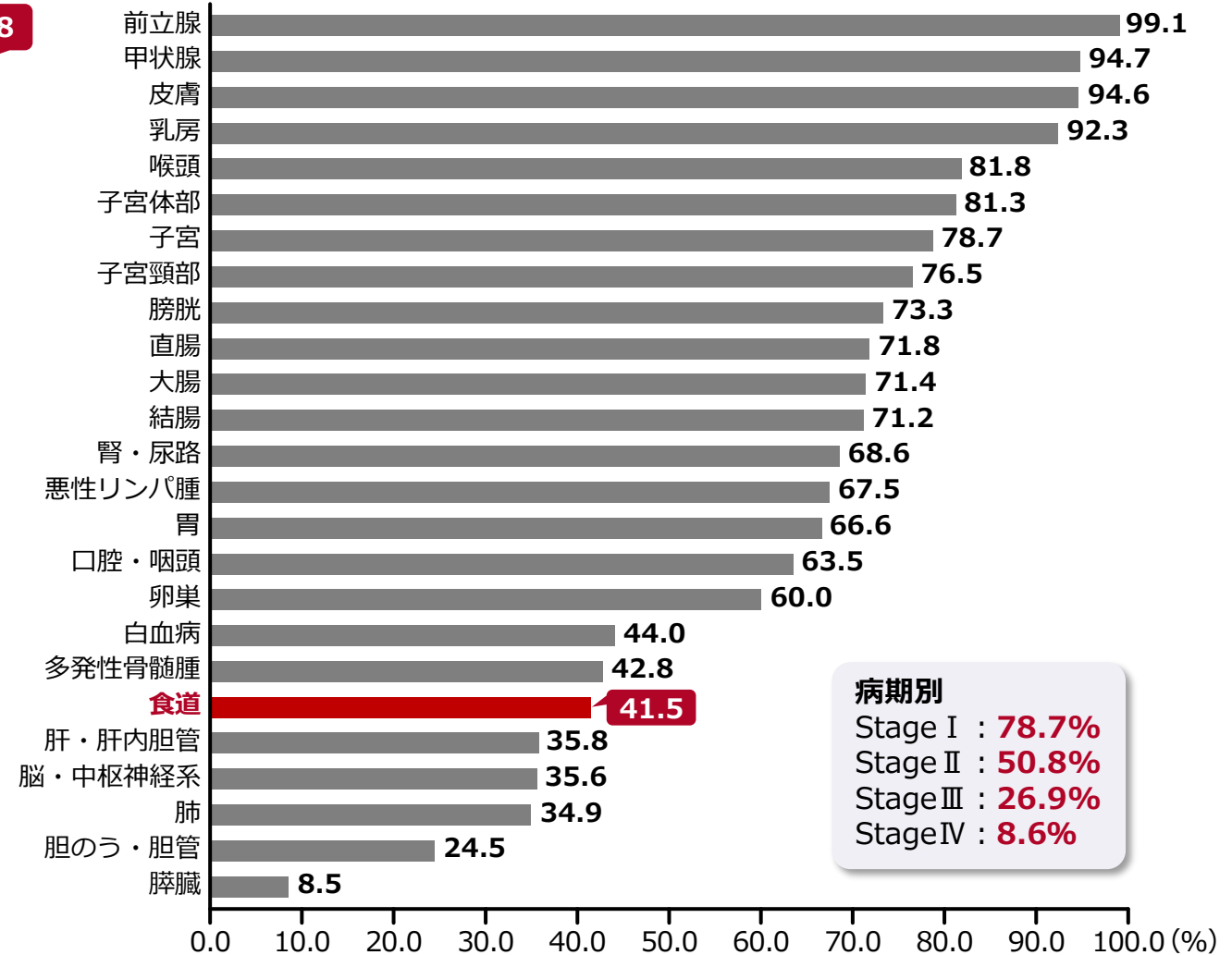
(上図)

- 2020年時点でアジアを中心に世界で60万人以上の患者がいる
- 2040年には患者数が100万人を超えると予測されている

(右図)

- 食道がんの5年生存率は41.5%であり、相対的に5年生存率が低い
- StageⅢ、StageⅣ群では生存率はそれぞれ26.9%、8.6%である

国内におけるがん種別の相対5年生存率



病期別
 StageⅠ : **78.7%**
 StageⅡ : **50.8%**
 StageⅢ : **26.9%**
 StageⅣ : **8.6%**

食道がん治療の“問題”

1. “嚥下障害（食道狭窄）”や“栄養障害”等によるQOLの低下に対し根本的な解決策が少ない
2. 手術により食道の構造が変わることで逆流性食道炎や、ダンピング症候群、誤嚥などのリスクが高まる
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、狭窄など局所的な寛解が困難である
4. 食道癌の手術は長時間で侵襲が大きく、患者に大きな負担がかかる（手術困難な高齢者が多い）
5. 嘔吐・脱毛・造血器障害等の副作用を伴う化学療法に耐えることが困難な患者が多い
6. 合併症（特に肝臓や腎臓）を持つ高齢患者が増えており、化学療法の選択が難しい場合も多い



- 現行の標準治療が困難な患者に対する**新たな治療法が望まれている**
- **がんを取り除くこと + 患者QOLの改善**につながる新規治療法の開発が必要

“がんを切らずに治療する”



テロメライシンはがん細胞のみを破壊するように遺伝子改変された“腫瘍溶解性 5 型アデノウイルス製剤”である

- 特徴 ① “局所進行性食道がん”におけるFirst-in-Classの治療薬
→局所奏効率、生存率
- 特徴 ② 安全性について、現在重篤な副作用は認められていない
- 特徴 ③ “テロメラゼプロモーター” 搭載によるがん細胞特異的な増殖
- 特徴 ④ 放射線治療との併用による相乗効果
- 特徴 ⑤ アブスコパル効果（遠隔効果：放射線照射野以外のがん病変に対する効果）
- 特徴 ⑥ 免疫チェックポイント阻害剤との併用効果

1. “根治的食道切除術の対象にならない患者※1”“根治的化学放射線療法の対象にならない患者※2”に対して臨床試験を実施した
2. 6週間の放射線治療期間にテロメライシンを2週間おきに3回局所投与する

※1：高齢・心機能低下のため手術ができない患者等 ※2：肝腎機能の低下により化学療法を受けられない患者等

対象患者

局所進行性食道がん患者Stage2~3のうち、

“根治的食道切除術の対象にならない患者”

及び

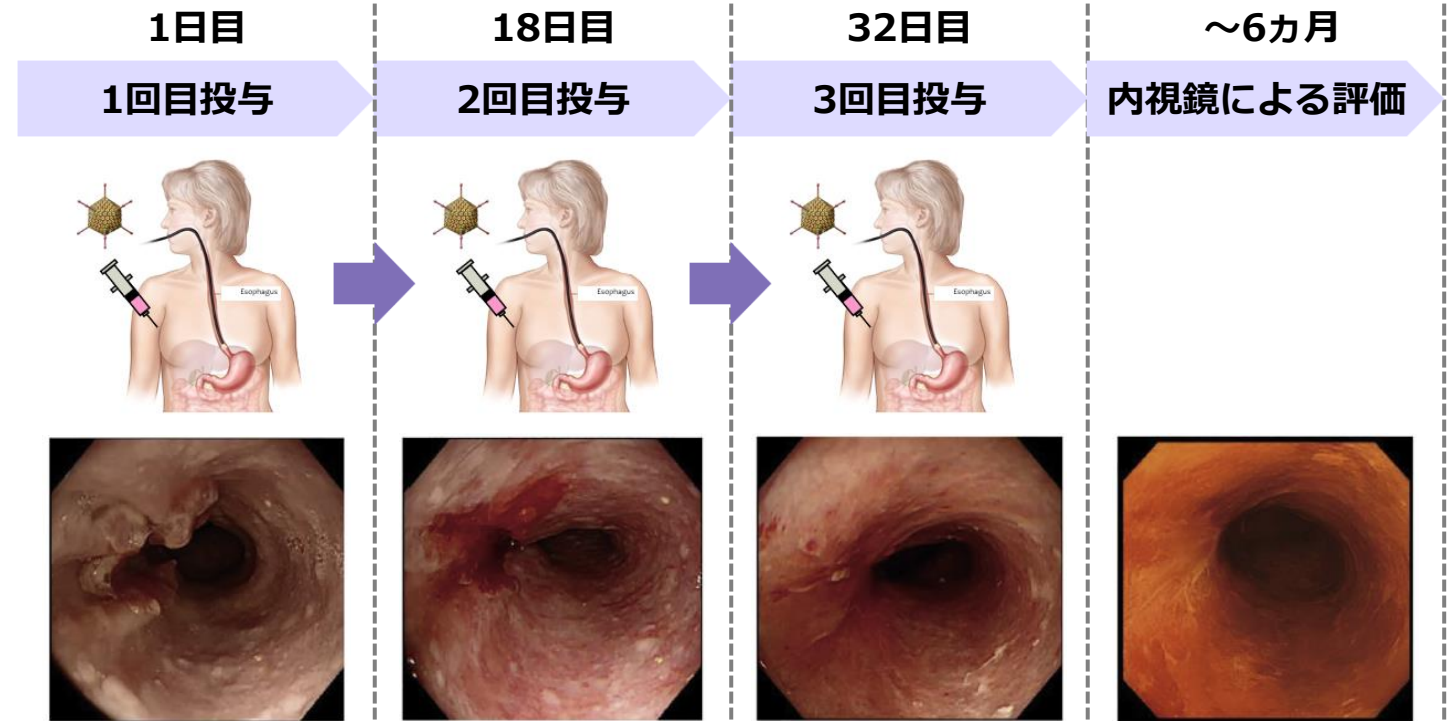
“根治的化学放射線療法の対象にならない患者”

日	月	火	水	木	金	土
					1	2
3	4	5	6	7	8	9
10	11	12	13	14	15	16
17	18	19	20	21	22	23
24	25	26	27	28	29	30
31	32	33	34	35	36	37
38	39	40	41	42	43	



 ：テロメライシン投与日

 ：放射線治療日



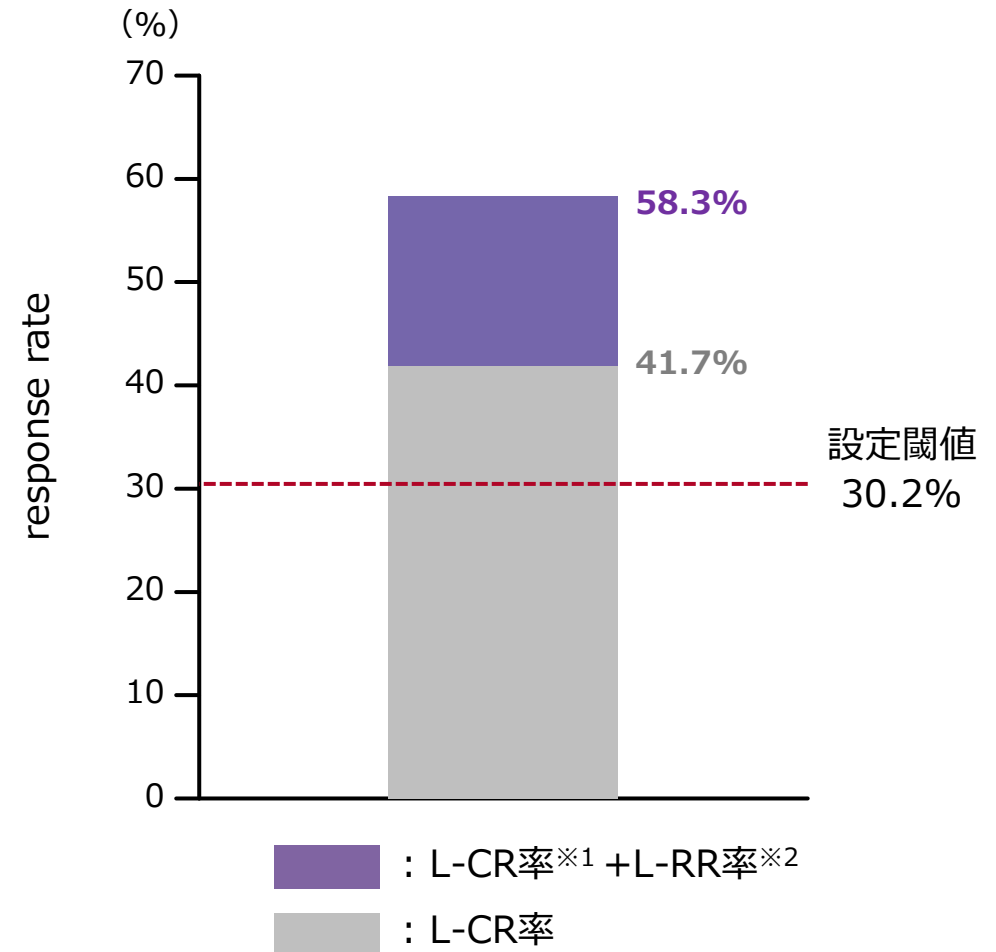
テロメライシンの24週の局所奏効率は、

58.3% であり、

そのうち、局所完全奏効率は、

41.7% であった。

局所完全奏効、局所著効を達成した患者の割合
(評価症例数：N=36)



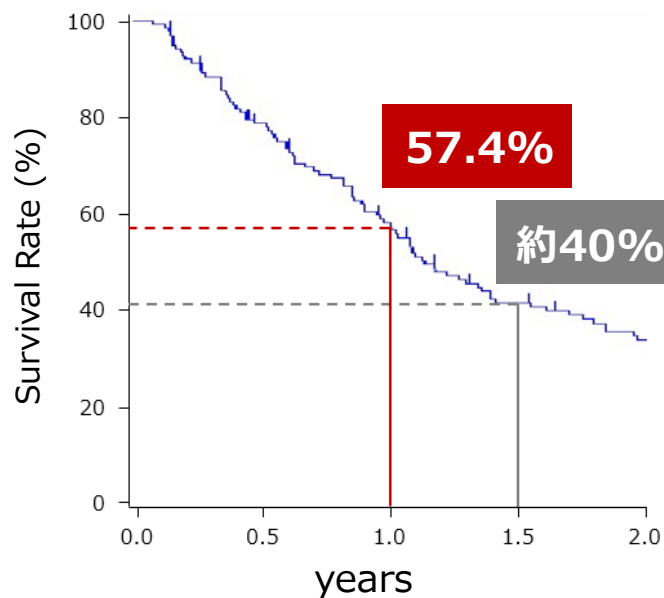
※1 L-CR率 (局所完全奏効率)

※2 L-RR率 (局所著効率)

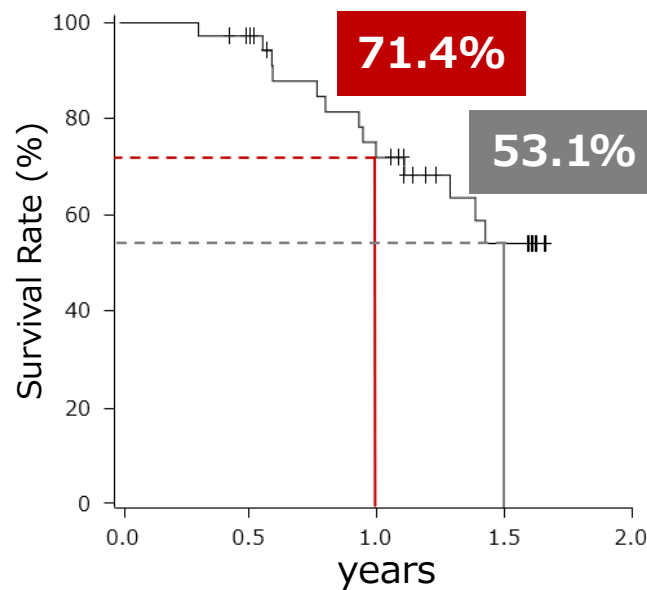
テロメラシンにより局所奏効が確認された症例では、有意に生存確率が高い

Survival Rate

食道学会登録データ cStage II・III
放射線単独療法
(N=139)

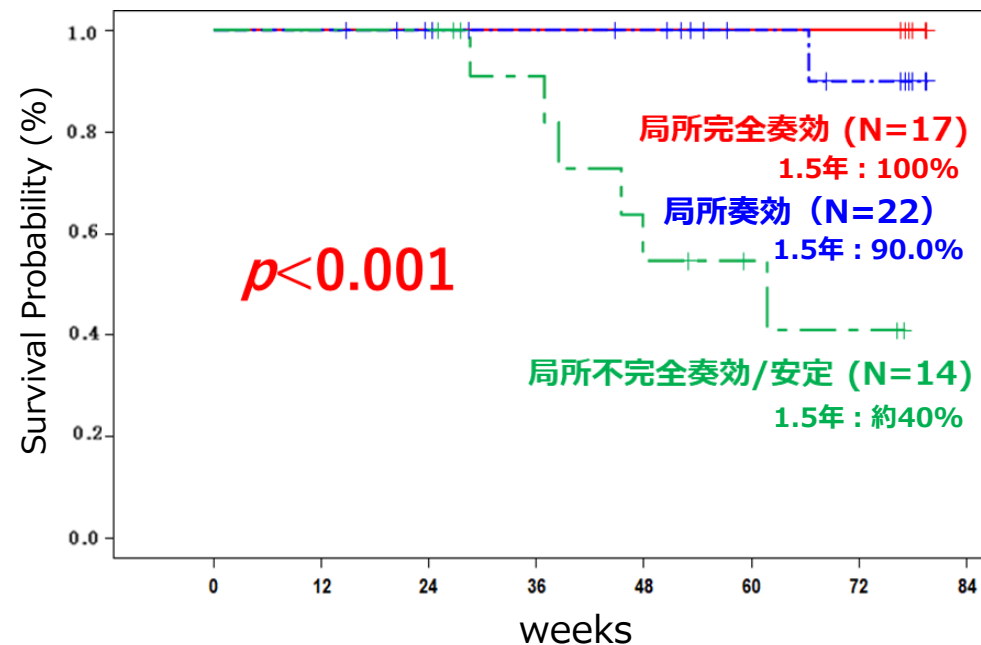


OBP101JP試験
テロメラisin+放射線療法
(N=36)



Cancer-specific survival (Follow-up期間を含む)

がん関連生存率



1. テロメライシンと関連性のある主な副作用

発熱：51.4%

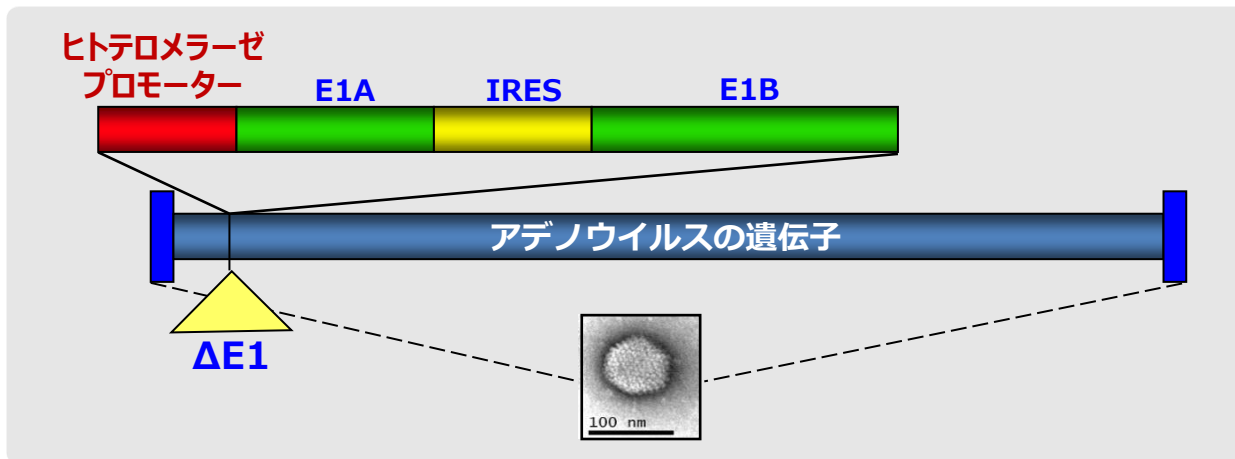
リンパ球数減少またはリンパ球減少症：48.6%

2. 上記の副作用は、軽度ないしは中等度、又は一過性の変化であった



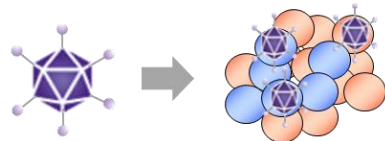
化学療法など既存の食道がん治療で生じ得る、
嘔吐・脱毛・造血器障害等の重篤な副作用は見られていない

● テロメライシンの構造

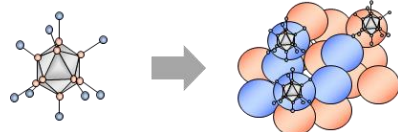


1. 細胞が増殖するためには、テロメアの長さが重要である
2. テロメラーゼは、テロメアを伸長させる酵素である
3. がん細胞では、テロメラーゼが活性化しており、増殖する
4. テロメライシンは、がん細胞で活性化しているテロメラーゼに反応するようヒトテロメラーゼプロモーターというスイッチ遺伝子が挿入されている

● テロメライシン



● 従来のアデノウイルス



Point

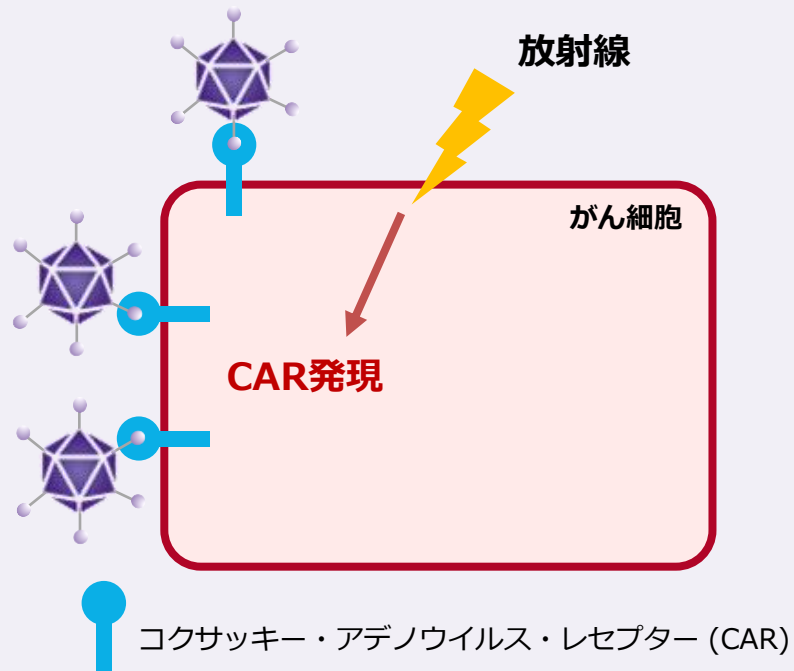


● 正常細胞 ● がん細胞



1. テロメライシンと放射線の併用は、以下の2つのメカニズムにより相乗効果が得られる
2. 「①がん細胞に感染しやすくなる」 + 「②放射線に切断されたがん細胞の自己修復を阻害する」

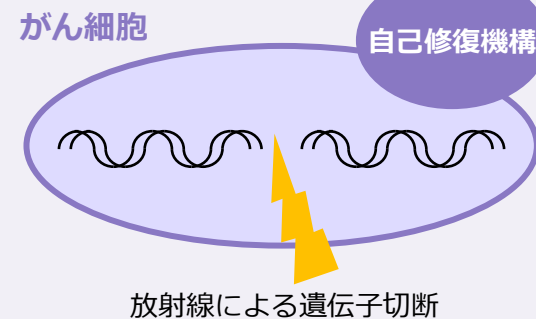
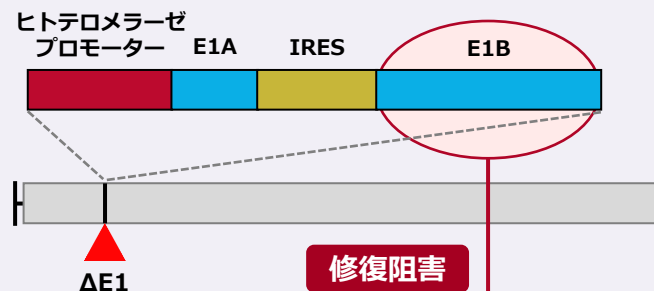
① 放射線の照射によりがん細胞上にCAR^{*}が発現し、**テロメライシンの感染力が向上**する



^{*}ウイルスが細胞に侵入する際に吸着する受容体
CARは正常な細胞に認められている一方、各種がん細胞において発現量が増加している

② テロメライシンの持つタンパク質により、**放射線が切断したがん細胞の遺伝子自己修復機構を阻害**する

テロメライシンの遺伝子構造



テロメライシンの持つE1Bというタンパク質はがん細胞のリン酸化^{*}阻害作用を有する
(^{*}がん細胞増殖に必要な反応機構)

放射線で切断されたがん細胞の遺伝子修復を阻害する

1. 臨床研究において、治療8カ月後のPET-CT検査では、**原発巣・転移リンパ節**ともに完全奏効が確認された
2. テロメライシン**投与部位以外での腫瘍縮小効果**より、全身性の抗腫瘍効果が示唆された

「アブ」 「スコパル」

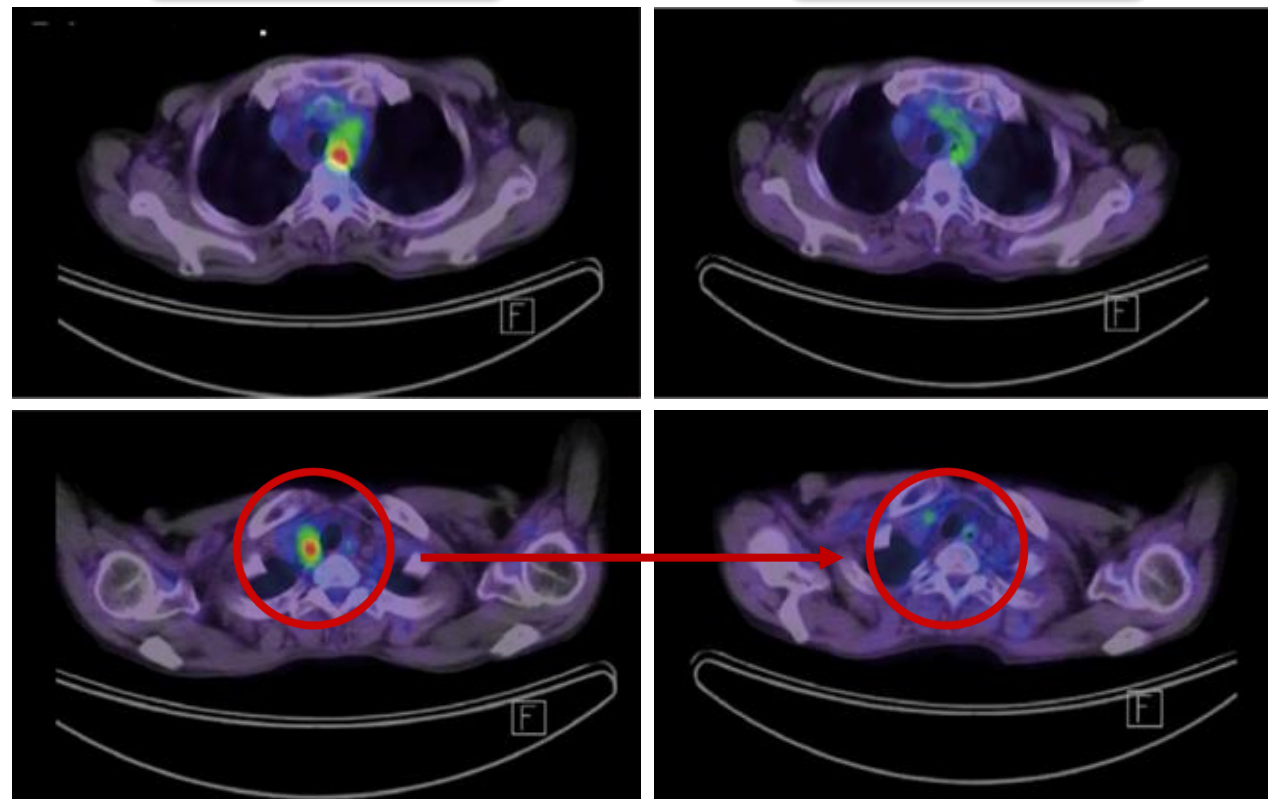
「遠くへ」 「狙いを定める」

原発巣
投与部位

右反回神経
リンパ節
遠隔部位

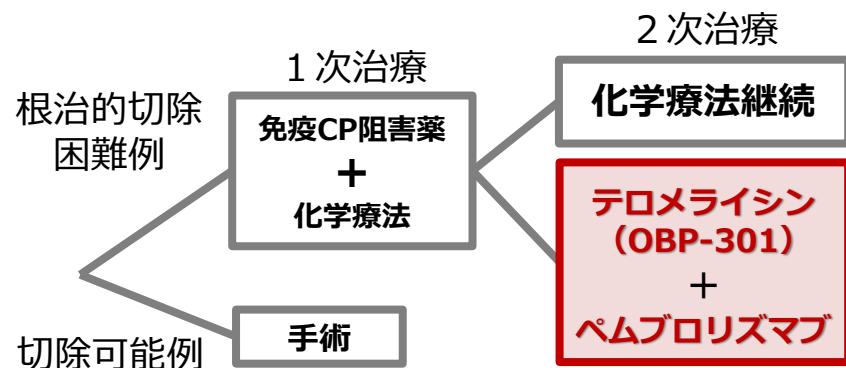
Day 0

8 month

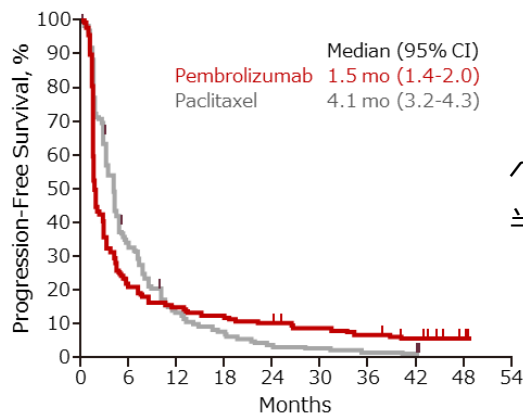


コーネル大学及びメルク社との共同開発体制の構築が完了し、胃がん2nd Line治療への応用を進めている

● 米国の胃がん治療フローと目指す姿



● ご参考：KEYNOTE-061 trial



ペムブロリズマブ単独治療における半年後の無増悪生存率は約**20%**である

● 治験概要 (2024年開始予定)

対象：抗PD-1/PD-L1抗体を含む一次治療に抵抗性のある胃癌・胃食道接合部癌患者

評価項目：

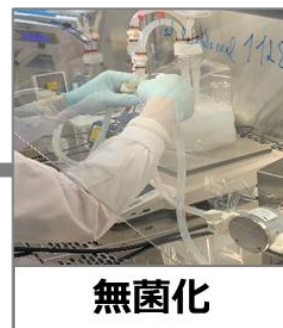
1. 主要評価項目
客観的奏効率
2. 副次的評価項目
病勢コントロール率、奏効期間、全生存期間、無増悪生存期間
3. 探索的評価項目
RNA配列分析による腫瘍-免疫微小環境評価



“ビジネスアップデート”

写真：ヘノジェン社（ベルギー）

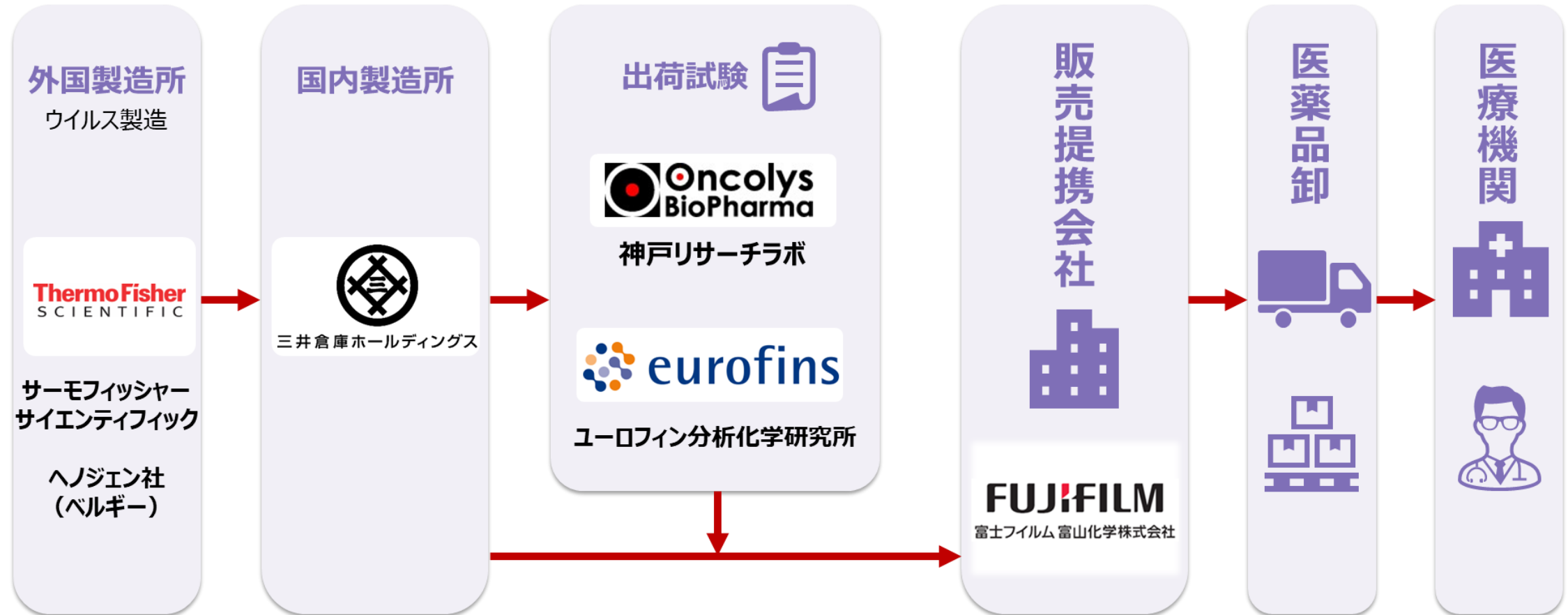
1. 原薬GMP製造を完了し、プロセスバリデーションを開始した。
2. 24年1Qにプロセスバリデーションの原薬の品質結果が得られる予定。



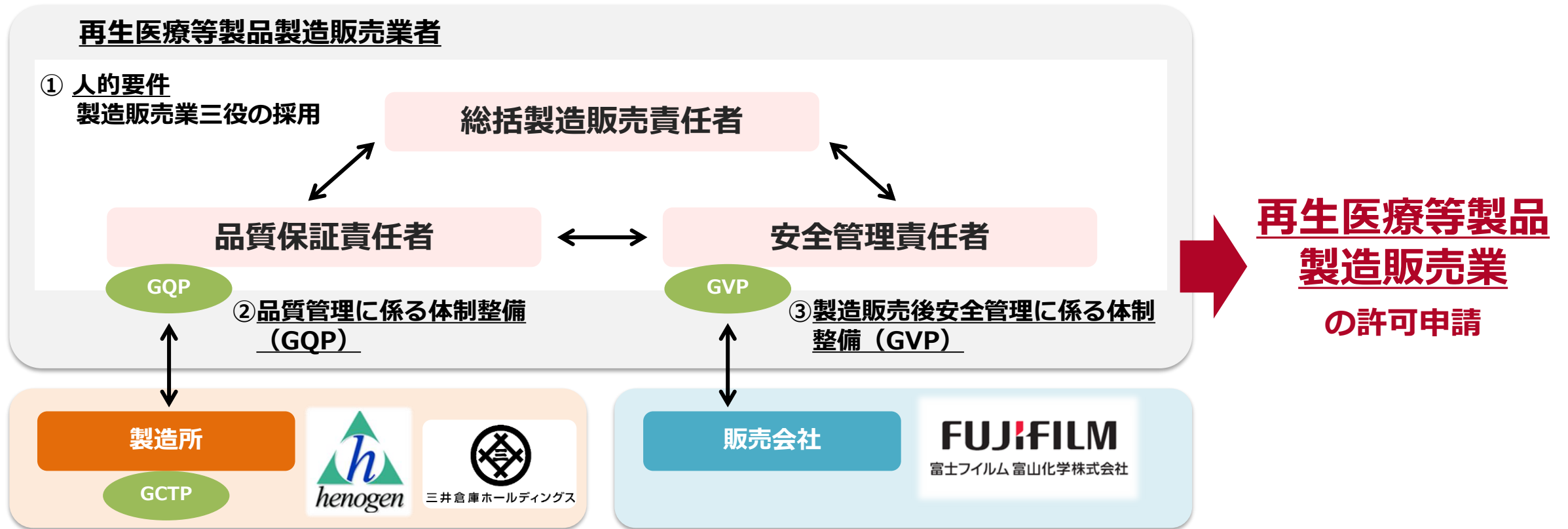
3. 商用製造を開始する。



1. 三井倉庫HD、富士フィルム富山化学との契約を締結し、外国製造所から医療機関までの流通体制が確立した。



1. 製造販売業三役の採用が完了した。
2. 信頼性保証本部を立ち上げ、医療現場が医薬品を適正に使用できる体制構築に着手した。
3. 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。



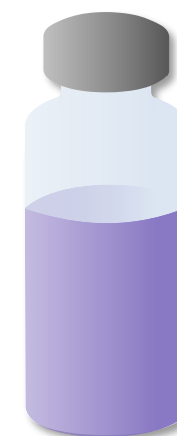
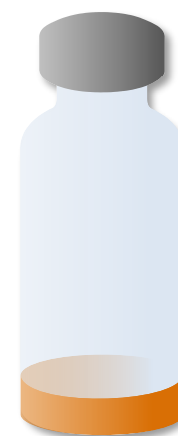
1. 富士フィルム富山化学と販売提携契約を締結した。
2. テロメライシンを富士フィルム富山化学に供給して得る収入は、一般的なライセンス契約で得られる収入より大きくなる可能性がある。



※ テロメライシンの販売収入イメージ

ライセンス収入

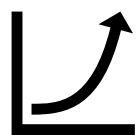
販売収入



1桁～10%台程度の
ロイヤリティ収入



“高まる食道がん治療ニーズ”

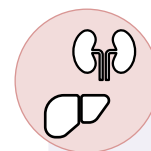


- ・現在の食道がんの標準治療は化学療法・手術が中心となっている
- ・超高齢社会により、高齢で罹患率の高い食道がん患者が急速に増加することが予想される

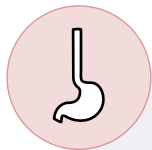
増加



高齢のため、長時間の手術に耐えられない患者



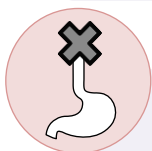
肝腎機能の低下により、化学療法が困難な患者



食道の温存を希望する患者



標準治療である化学療法において、副作用等により治療完遂が困難な患者



免疫チェックポイント阻害剤を用いた治療等で局所に効果を示さず、嚥下障害が残った患者



“**がんを切らずに治療する**” ことにより多くの患者がベネフィットを享受できると考えられる
また、テロメライシンの発売とともに、今後、局所治療のニーズが増えることが予想される

承認されれば “世界初の腫瘍溶解アデノウイルス製剤” であるテロメライシンの価値を最大化していく

前提条件

1. Phase2臨床試験データで承認申請を想定
2. 想定薬価 140万円/vial
※デリタクトの薬価を参照して設定
3. 投与方法 2週間おきに内視鏡で3回局所投与
4. 対象患者数
食道がん患者数：約25,000人

承認取得

市場浸透

5年間^{※1}
累積売上高
48~135億円

追加投与

他癌腫への
適応拡大

適応追加
(ex食道閉塞、
ケモラジ併用)

テロメライシンによる
年間売上高
100億円
を目指す

1. 会計期間ごとの見通しを開示しない理由

2023年2月の富士フイルム富山化学との販売提携契約の締結を受けて、今後同社のテロメライシン出荷計画に基づく当社への製造委託に基づき、テロメライシンは出荷されます。

現時点では同計画が確定していないため、会計期間ごとの見通しを開示を控えています。

2. 2023年3月に開示した「事業計画及び成長可能性に関する事項」と売上予測が異なる理由

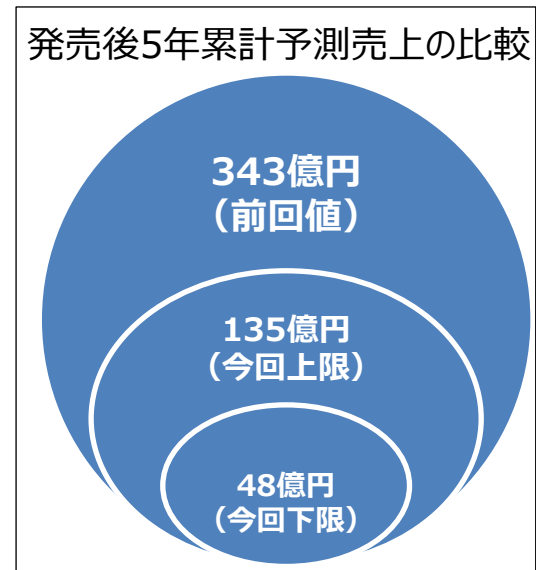
臨床試験の対象の放射線治療stage II/III食道がん患者数のみを下限としたため、手術拒否患者などへの拡大を前提にした2023年3月の「事業計画及び成長可能性に関する事項」と比較して、5年間の売上予測の下限を前回比13%で見込みました。

また、市場は大きいが高額な臨床試験費用の発生が見込まれる「放射線化学療法の食道がん患者」への適応拡大の優先順位を引き下げ、相対的に廉価な臨床試験費用で実施可能な他の領域の適応拡大を想定したため、販売開始後5年間の累計市場の上限を前回比39%で見込みました。

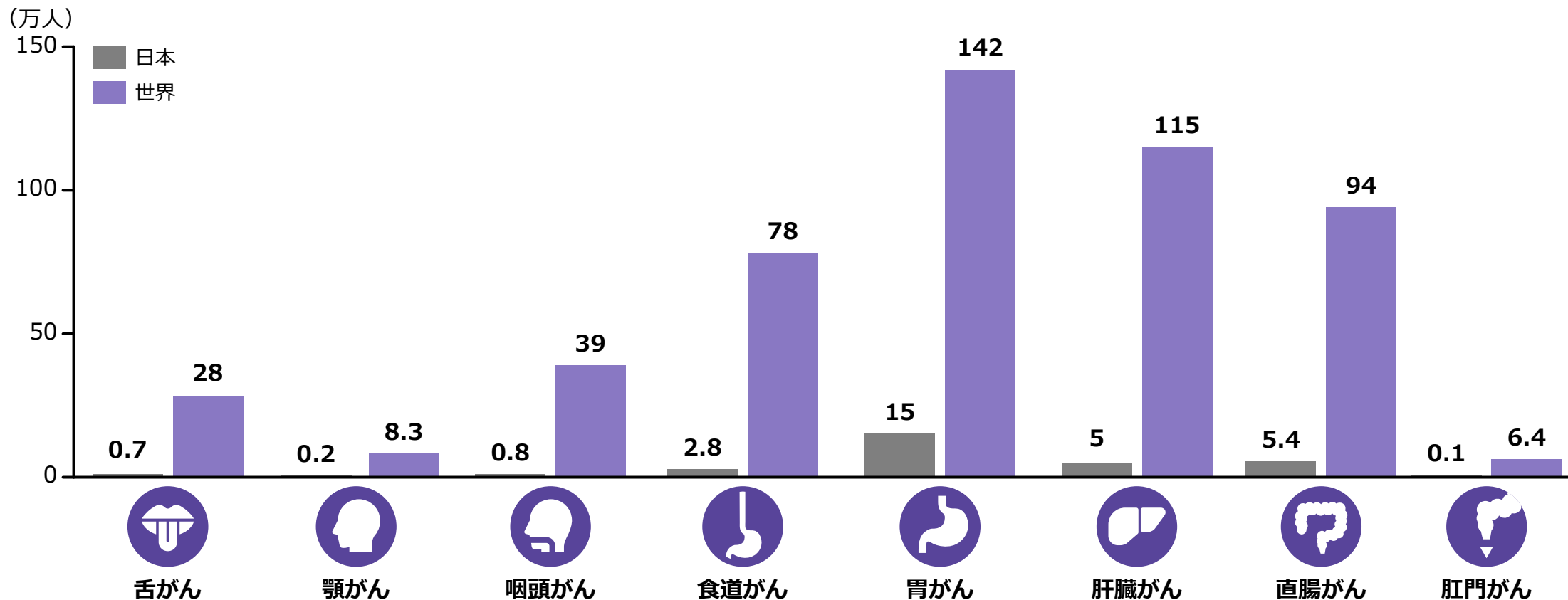
2023年3月に開示した「事業計画及び成長可能性に関する事項」では「放射線化学療法併用（適応拡大）で年商250億円を目指す」と記載していましたが、この度の開示においては保守的に売上を予測しているため、年商250億円を変更し、年商100億円としました。

3. 詳細な売上予測の開示予定時期

詳細な売上予測は、テロメライシンの薬価基準収載後に、医療現場への供給予想数量を富士フイルム富山化学と検討したうえで、開示する計画です。なお、当社は費用対効果を十分に勘案しながら、テロメライシンの価値最大化を目指し、医療現場に貢献する方針です。



“食べ物の入り口から出口まで”というマーケット戦略のもと、QOL低下が著しい疾患を対象に適応拡大を目指す



テロメライシンによる対象患者数は世界に **“510万人以上”** である



1. 国内承認申請に向けた準備を進めている
2. 医療現場への安定供給に向けて、商用製造を進めている
3. 再生医療等製品製造販売業の許可申請の準備を進め、製販業者となる準備を進めている
4. 富士フイルム富山化学や三井倉庫とサプライチェーンを確認している
5. メルクと費用を折半する米国での胃がん共同開発の投与準備を進めている

1. 会社概要

2. 開発パイプライン

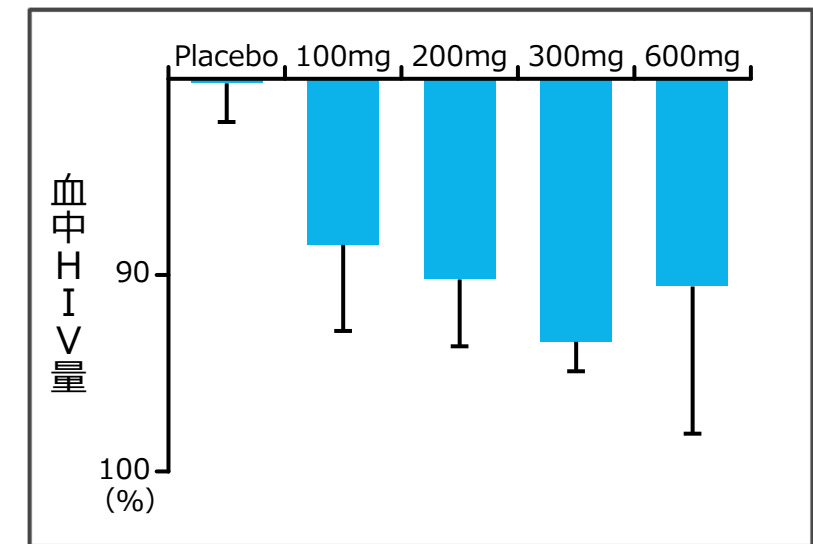
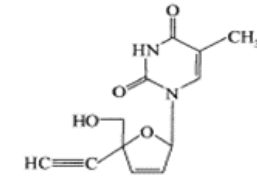
- ① テロメライシン (OBP-301) : 腫瘍溶解性アデノウイルス治療薬
- ② censavudine (OBP-601) : 神経難病治療薬
- ③ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ④ OBP-702 : 次世代テロメライシン
- ⑤ OBP-401 : テロメスキャン

3. 今後の見通し

4. リスク情報

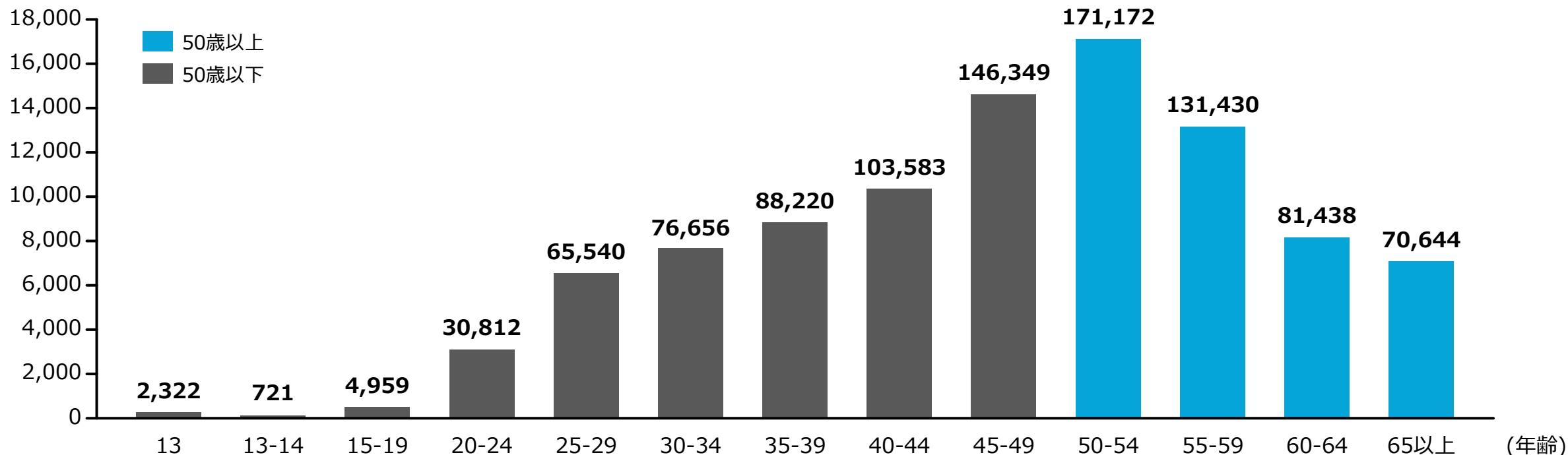
- 1 核酸系逆転写酵素阻害剤であり、当初は“HIV治療薬”として開発していた
- 2 1日1回、10日間投与で、血液中のHIVウイルスを90%以上低下させた（右下図）
- 3 Bristol-Myers Squibb（BMS）社が関心を持ち、2010年にOBP-601をライセンスした
- 4 ライセンス後、BMS社が世界17か国94施設でPhase2b試験を完了させ、“既存のHIV治療薬と同等の有効性”と“長期投与の安全性”が示された
- 5 がん領域へ注力するため、2014年にOBP-601のライセンスを終了した
- 6 米国ブラウン大学により、OBP-601はLINE-1（レトロトランスポゾン）の逆転写と複製を抑制し、脳内への高い移行性を示すことが確認された
- 7 アルツハイマー病など神経変性疾患治療薬へ応用可能であることが示唆された
- 8 米国のVCが本結果に注目し、OBP-601の商業化を目的にTransposon社を設立し、2020年にTransposon社へ再ライセンスした

censavudine (OBP-601)



1. 50代以上のHIV感染患者は、数十年に渡りHIV治療薬を服用している
2. HIV治療薬を長期服用した患者において、50代前半をピークにアルツハイマー病の罹患数が下がっている
3. 核酸系逆転写酵素阻害剤は、アルツハイマー病の抑制に関与していることが示唆された

HIV患者におけるアルツハイマー病の推移



censavudine (OBP-601) は神経変性疾患に効果が期待されているLINE-1阻害薬である

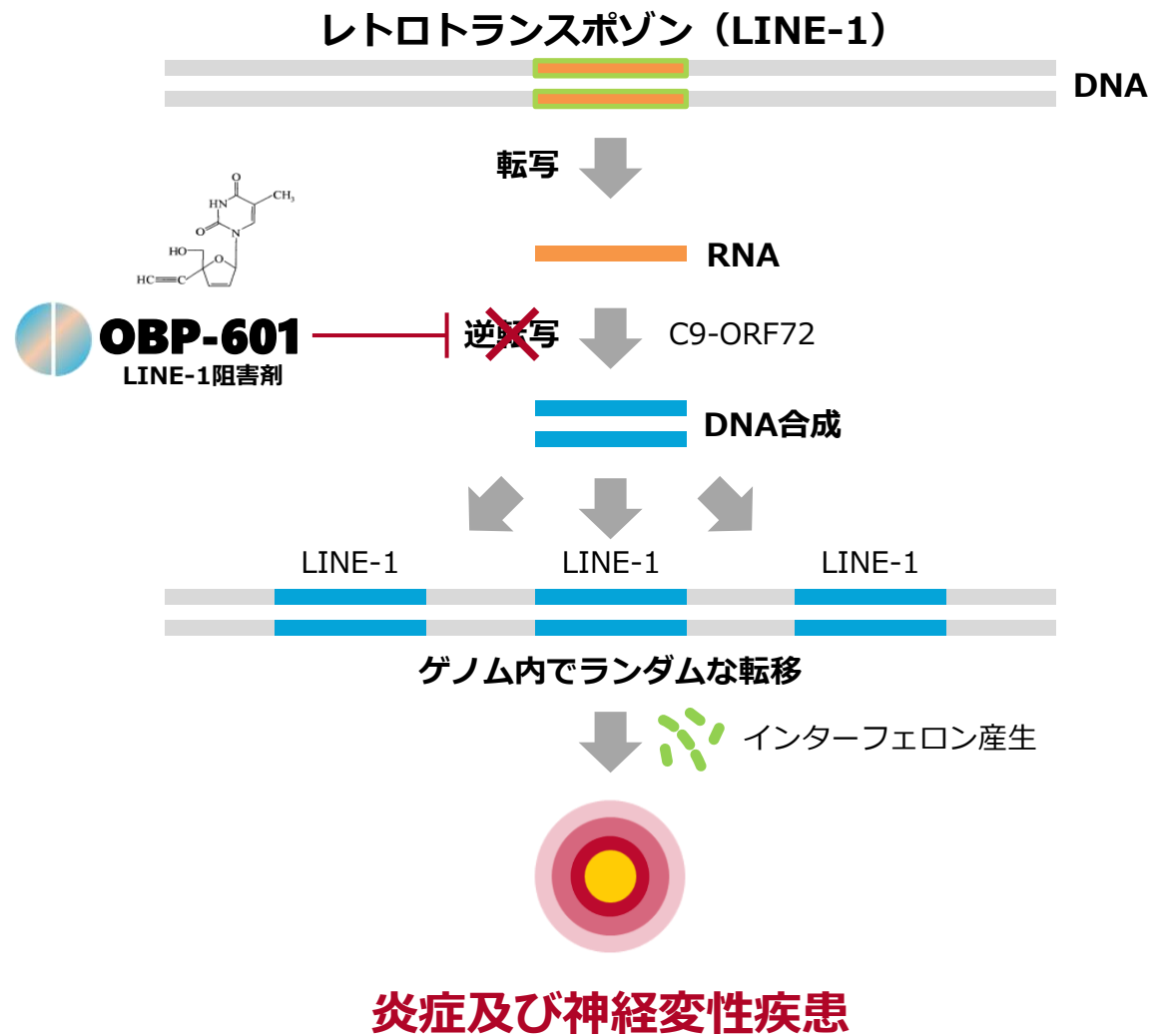
特徴 ① “新規メカニズム” を有するFirst-In-Classの神経変性疾患治療薬である

特徴 ② 他のHIV治療薬と比較して“脳内移行性が高い”

特徴 ③ 様々な神経変性疾患における効果が期待されており、
現在、下記の神経変性疾患治療薬として開発を進めている

- 進行性核上性麻痺 (PSP)
- 筋萎縮性側索硬化症 (ALS)
- 前頭側頭型認知症 (FTD)
- アイカルディ・ゴーティエ症候群 (AGS)

特徴 ④ 神経変性の主要なバイオマーカーに効果を示し、
アルツハイマー病を含む他のタウオパチーへの応用が示唆されている

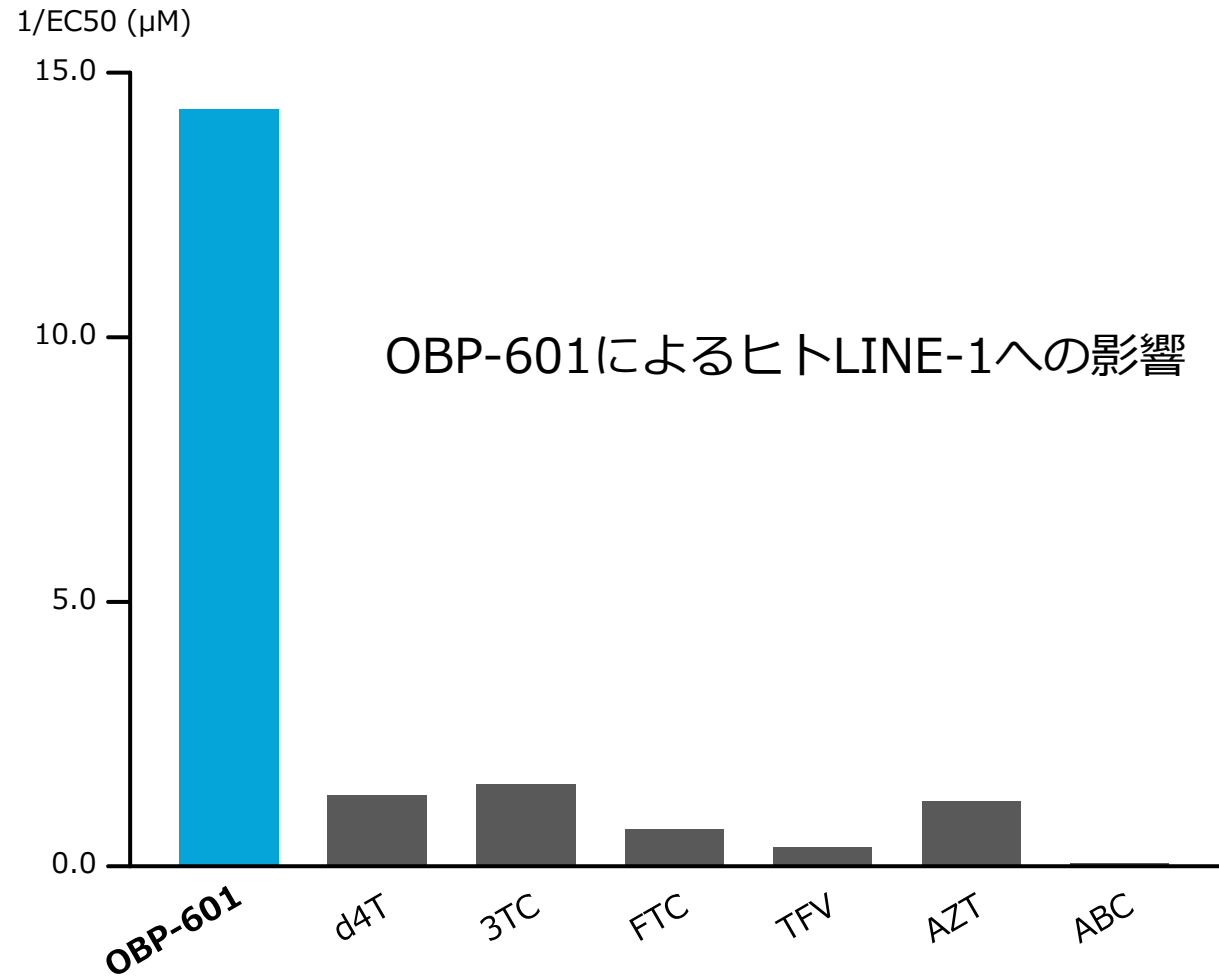


1. ヒトのゲノムの約半分は「逆転写酵素」を使って自己複製と増殖を行う可動性のDNA要素「レトロトランスポゾン」である
2. LINE-1と呼ばれる配列は「レトロトランスポゾン」の1つであり、自身の持つ逆転写酵素によりRNAからDNAに逆転写された後、ゲノム内に転移していく性質を持つ
3. 複製されたLINE-1によって、DNAがランダムに書き換えられることにより、DNA損傷等が起こり、神経変性疾患の原因となる



OBP-601は、“**LINE-1阻害作用**”を有する“**新規メカニズム**”の薬剤であり、神経変性疾患治療薬としての開発を進めている

OBP-601は他の抗HIV薬と比較し、神経細胞においてLINE-1の産生を最も強く抑制した



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

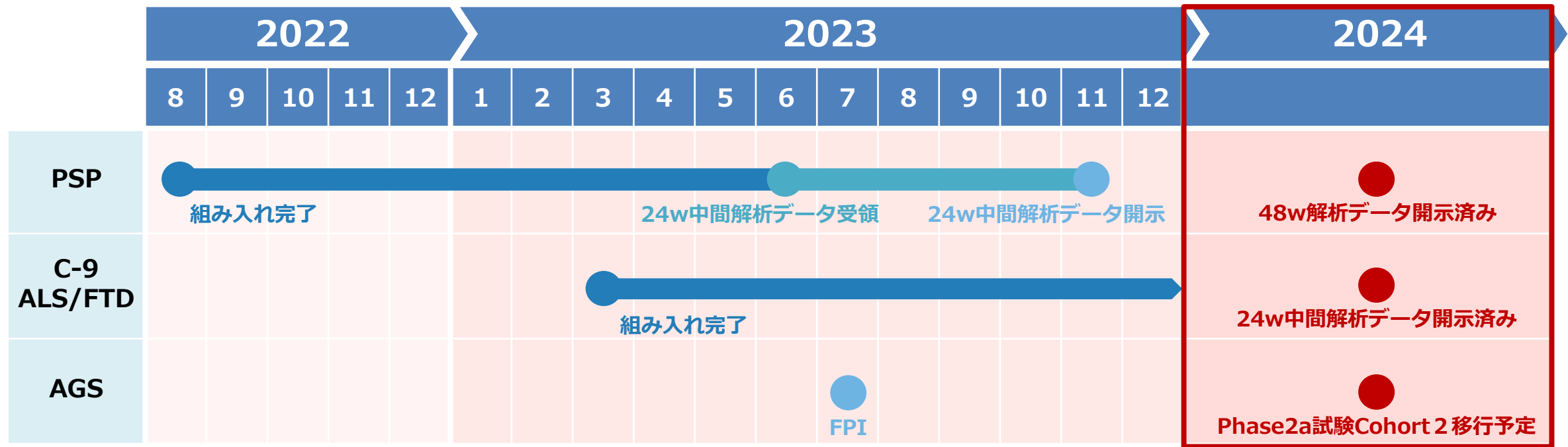


本社：米国Connecticut州, Westport 2019年設立

使命：LINE-1関連神経変性疾患の革新的な治療法の開発

対 象 疾 患	神経変性疾患
地 域	全世界
契 約 総 額	3億ドル（約450億円※）以上 但し、販売ロイヤリティ収入を除く
ロ イ ヤ リ テ ィ 率	Transposon社の意向で非公開
コ ス ト	開発・製造・販売コストはTransposon社が負担

1. PSP（進行性核上性麻痺）Phase2試験の48w最終解析データを開示した
2. C-9 ALS（筋萎縮性側索硬化症）/FTD（前頭側頭型認知症）Phase2a試験について24w中間解析データを開示した
3. 2024年上半期に、AGS（アイカルディ・ゴーティエ症候群）Phase2a試験のCohort 2 へ移行予定



※：但し、OBP-601に関するデータの開示はTransposon社の合意が得られた場合に限る。

PSP
進行性核上性麻痺

C-9 ALS
筋萎縮性側索硬化症

FTD
前頭側頭型認知症

AGS
アイカルディ・ゴータイエ症候群

症状

- 眼球運動障害
- 姿勢保持障害、
- すくみ足、パーキンソン症状
- 発語・言語障害、
- 認知機能低下（記憶障害）

- 上位運動ニューロン兆候
・筋力低下・腱反射亢進 等
- 下位運動ニューロン兆候
・筋萎縮 等
- その他
・構音障害、嚥下障害 等

- 認知機能障害
- 行動障害
- 失語症
- 運動障害

- 重篤な神経症状（生後 1 年以内に重度の脳症）
- 精神発達遅滞
- 痙縮(筋肉のこわばり)
- ジストニア（不随意運動）
- 小頭症

治療薬

根本的な治療方法はなく、対症療法が治療の中心

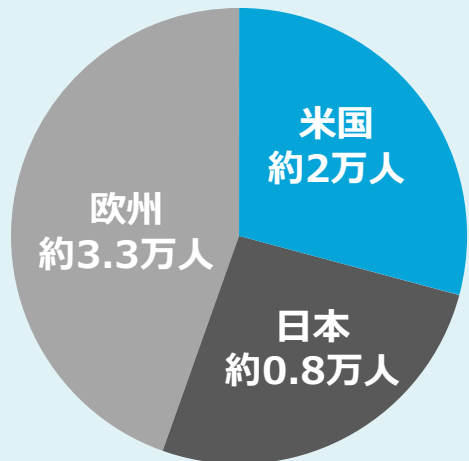
- L-dopaの投与を考慮

- リルゾール
- エダラボン

- SSRI
- コリンエステラーゼ阻害薬

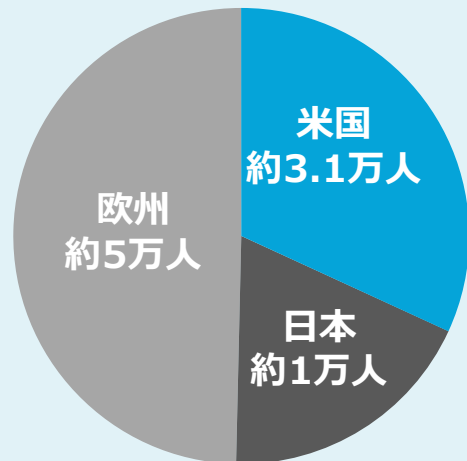
**将来の適応拡大に向けて治療法が確立されていない神経難病で、
まずはOBP-601のプレゼンスを確立する**

PSP (進行性核上性麻痺)



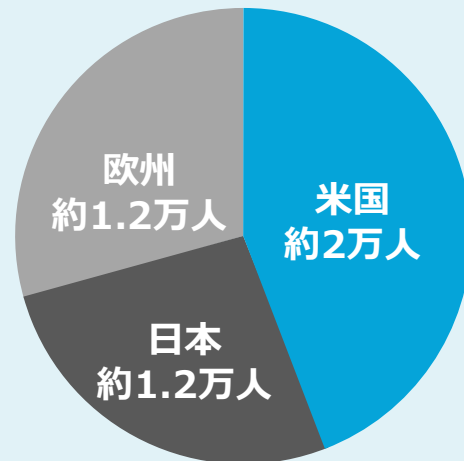
合計：約6.1万人

ALS (筋萎縮性側索硬化症)



合計：9.1万人

FTD (前頭側頭型認知症)



合計：3.6万人

AGS (アイカルディ・ゴーティエ症候群)



合計：数百人

いずれも“オーファン指定※”を受ける予定

※：患者数が20万人未満であり、有効な治療法が確立されていない



※参考：オーファン指定を受けた治療薬における全世界売上高

1. 血友病治療薬「ヘムライブラ」：30億2200万スイスフラン（2021年：ロシュ）
2. 脊髄性筋萎縮症治療薬「スピラザ」：19億0500万ドル（2021年：バイオジェン）

1. 希少疾患における欧米でのPhase 3 試験、アルツハイマー病を始めとする市場規模の大きな疾患を対象とした臨床試験を実施する予定である。
2. Transposon社は、グローバル製薬企業へのサブライセンス、IPO・M&Aなど様々な選択肢がある。

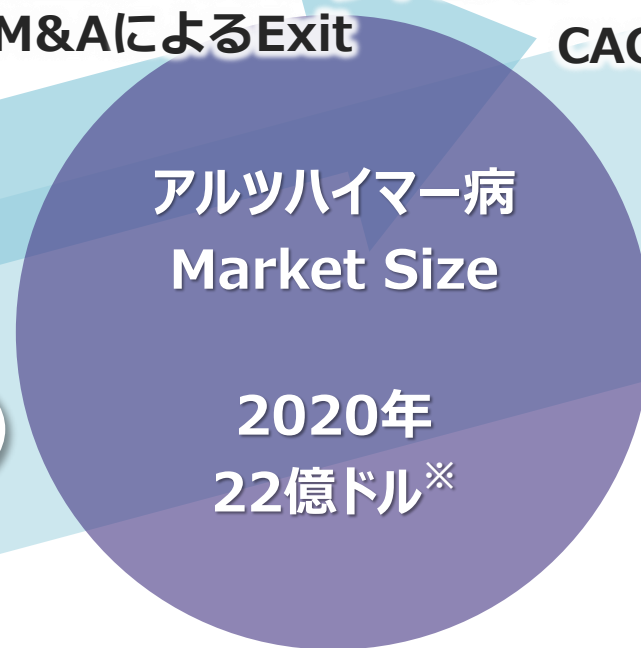
TRANSPONON

- ① グローバル製薬企業へのサブライセンス
- ② IPO、またはM&AによるExit

希少疾患領域における
OBP-601のプレゼンスの確立

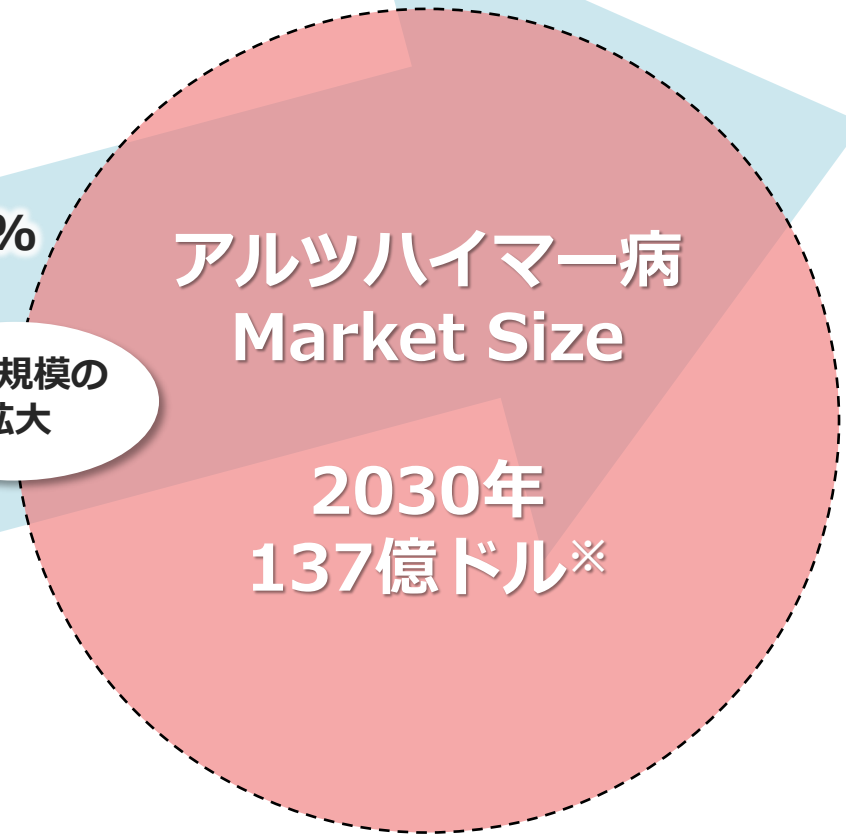


適応疾患の
拡大



CAGR20%

市場規模の
拡大



1. 神経難病領域における他社のライセンス事例では、契約総額は約20億ドル～30億ドルに上る
2. ライセンス提供企業は、一時金として契約総額の約半分を受領している
3. Transposon社がサブライセンスを実施した場合、下例と同等～上回るディールサイズが見込まれる

<神経難病領域のライセンス例>

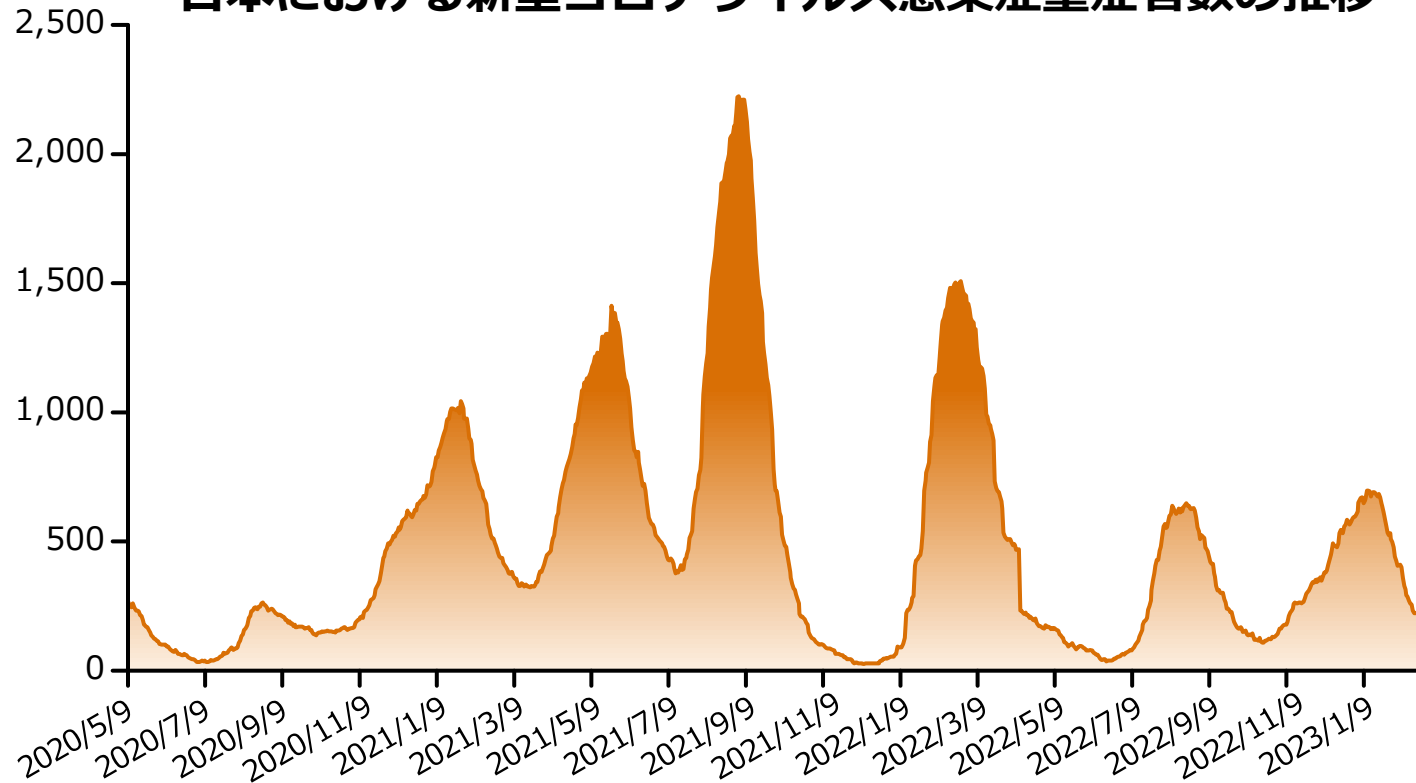
発表	ライセンス 獲得	ライセンス 提供	一時金 \$	総額 \$	対象	種類
2019.12	Roche	米Serepta	11億5000万	23億5000万	筋ジストロフィー	遺伝子治療
2020.8	Biogen	米Denali	10億2500万	21億5000万	パーキンソン病	低分子
2020.11	Biogen	米Sage	15億2500万	31億2500万	精神疾患	低分子

経口コロナ治療薬OBP-2011

“新たなパンデミックに備える”

1. ピーク時と比較して、新型コロナウイルス感染症による重症患者数が減少している
2. 新型コロナウイルス治療薬が相次ぎ上市された上に、新薬承認のハードルが上昇している
3. ワクチン普及や集団免疫の獲得により患者数が減少したことで、臨床試験の実施ハードルが上がっている
4. テロメライシンの承認申請に、当社リソースを集中させている

日本における新型コロナウイルス感染症重症者数の推移



承認済みの新型コロナウイルス治療薬

製品名	企業名	承認日
ベルクリー点滴静注用	ギリアド	2020年5月7日
ラゲブリオカプセル	MSD	2021年12月24日
パキロビットパック	ファイザー	2022年2月10日
ゾコーバ錠	塩野義製薬	2022年11月22日

開発状況

1. 原薬GMP製造を完了させた
2. 治験入りの計画はない
3. デルタ株・オミクロン株など変異ウイルスに加えて、同じコロナウイルスであるSARSやMERSへの効果を確認した
4. 有効性薬理試験・毒性試験・遺伝毒性・薬物代謝酵素/タンパク結合、hERG、生体内分布、薬物動態など、前臨床試験は概ね終了した
5. メカニズムの解明を進めている



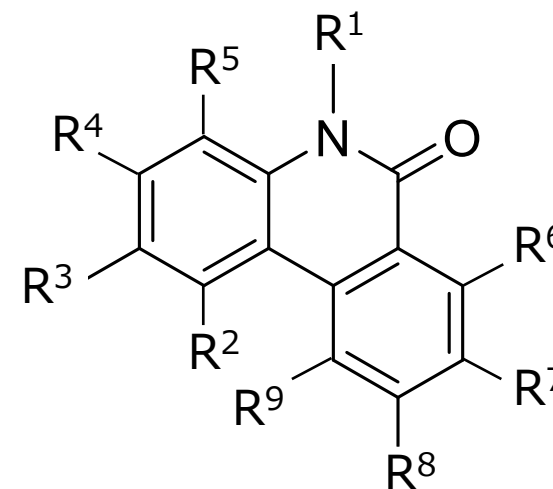
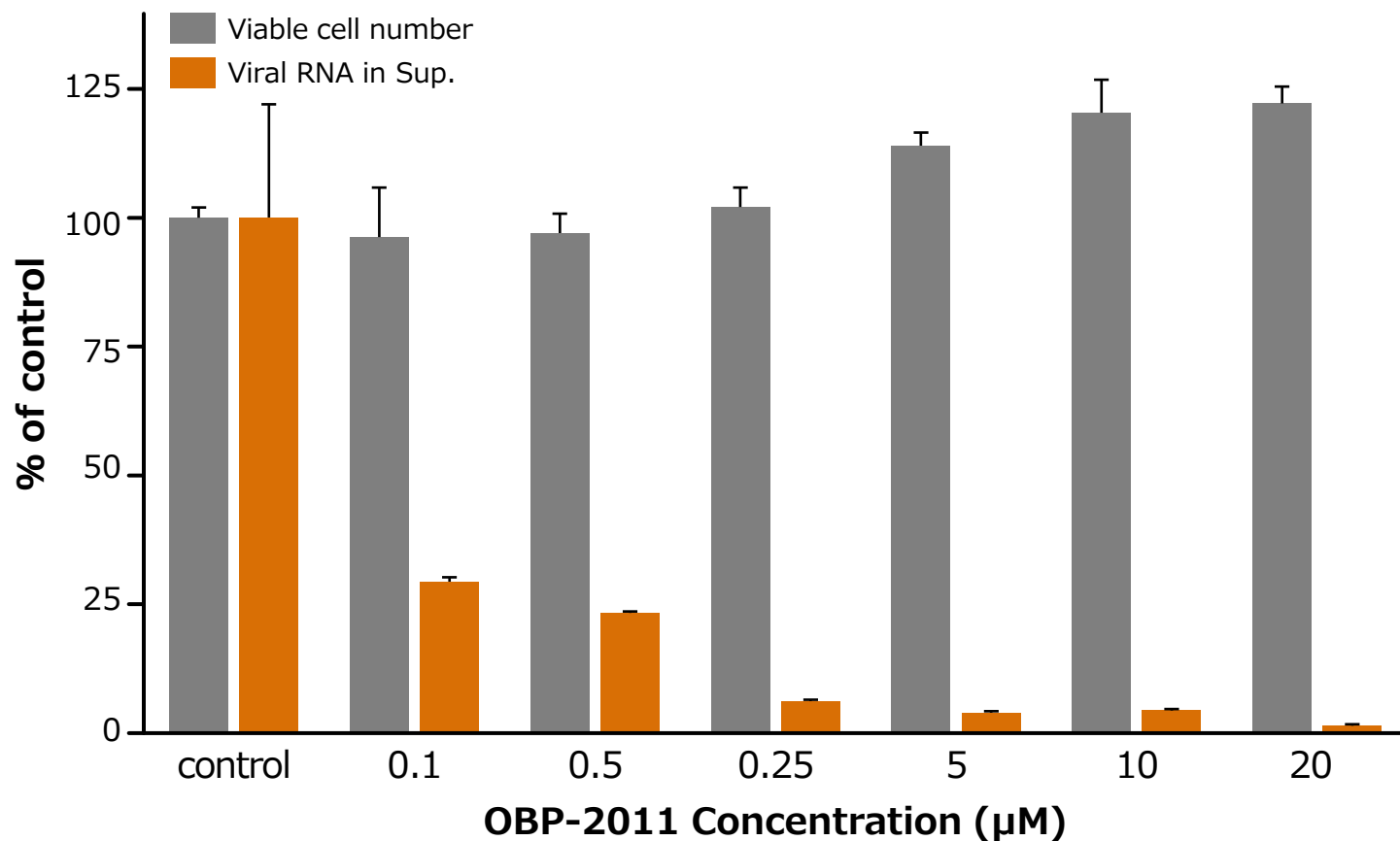
今後の計画

1. 鹿児島大学とともに、メカニズムの解明や他のウイルスへの効果確認を進めていく
2. 他社の承認された新型コロナウイルス感染症治療薬の上市までの開発経緯のように、新型コロナのパンデミック沈静化後も研究開発の灯を継続していく
3. 抗ウイルス薬を手掛ける製薬会社は、「ポリメラーゼやプロテアーゼの遺伝子変異ウイルスが発生する可能性」を危惧しており、将来SARS CoV-3の発生可能性が否めないことから、新たな変異ウイルスが発生するリスクがある
4. 新たなRNAウイルスによるパンデミックを想定して、新規適応を検討している
5. 現時点では優先順位を引き下げているが、新たなパンデミック発生時に対応できる状況を維持していく

名称	作用機序	開発	オリジン	開発経緯
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
ラゲブリオ (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 承認日：2021年12月24日
パキロビット (ニルマトレルビル)	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 承認日：2022年2月10日
ゾコーバ (エンシトレルビル)	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 承認日：2022年11月22日

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

1. OBP-2011は広範囲のコロナウイルス変異株に作用する
2. 今後起こり得るパンデミックの備えとしてメカニズム解明を進めていく必要がある

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
	アルファ	(QK002, UK)	3.37	1.3
		(QNH001, UK)	4.07	1.1
		(QNH002, UK)	3.62	1.2
		ベータ	(TY8-612, SA)	5.12
	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)	

次世代テロメライシン（OBP-702）

“治らないがんへの挑戦”

1. 当社はテロメライシンへのリソース集中を経営戦略の主軸としており、OBP-702の開発優先順位を引き下げている
2. 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成金を活用して、原薬のGMP製造を進めた
3. 今後、岡山大学の研究グループが臨床試験に関する助成金の獲得を目指していく

2020年3月30日プレスリリース

次世代テロメライシンOBP-702の開発に向けた 助成金採択に関するお知らせ

<助成の内容>

事業：令和2年度「革新的がん医療実用化研究事業」

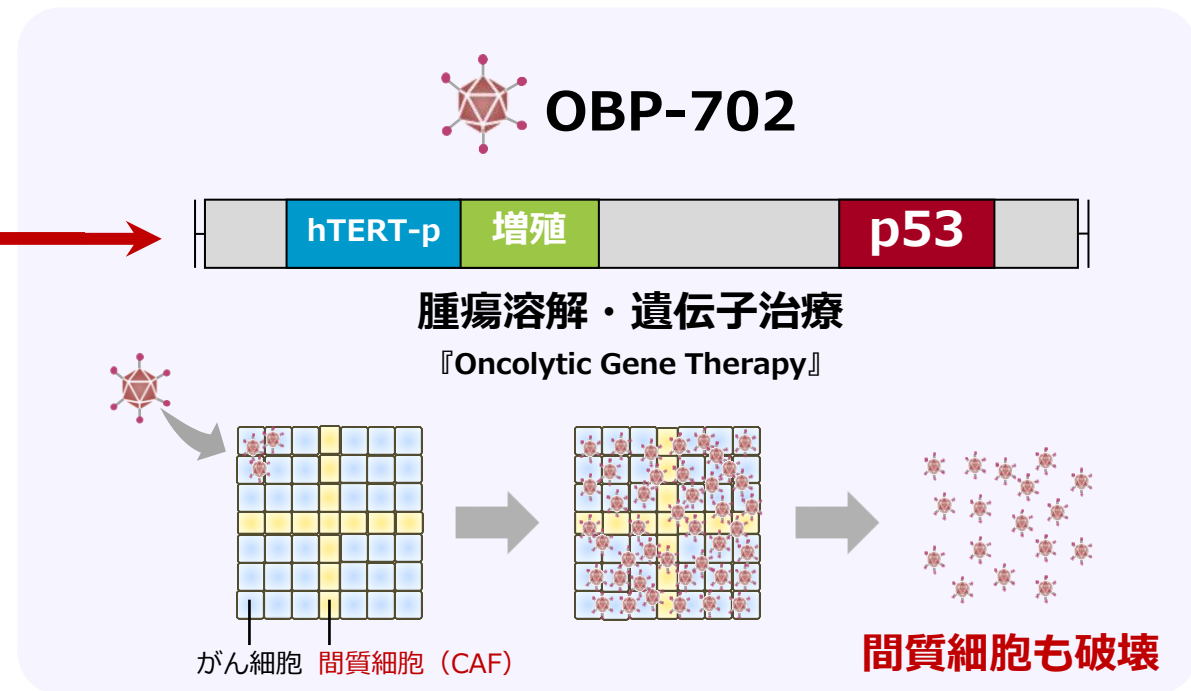
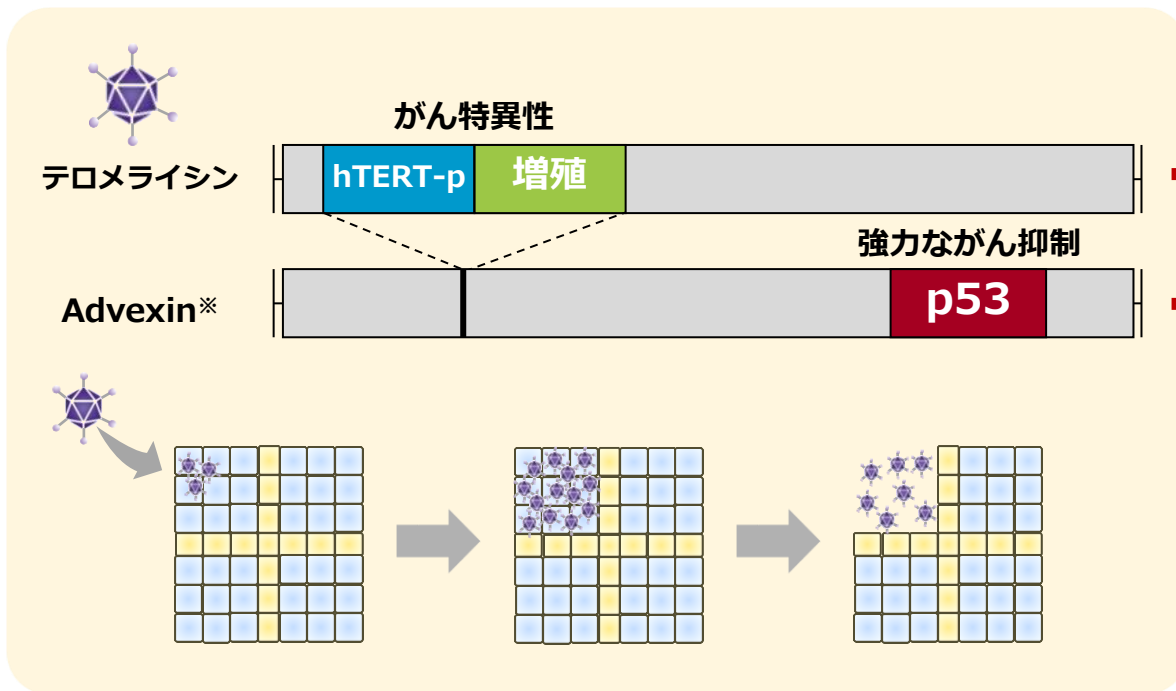
領域：革新的がん治療薬（再生医療等製品）の実用化に向けた非臨床試験

研究開発課題名：「難治がんに対する p53 がん抑制遺伝子搭載武装化アデノウイルス製剤
の実用化のための非臨床試験」

所属：岡山大学

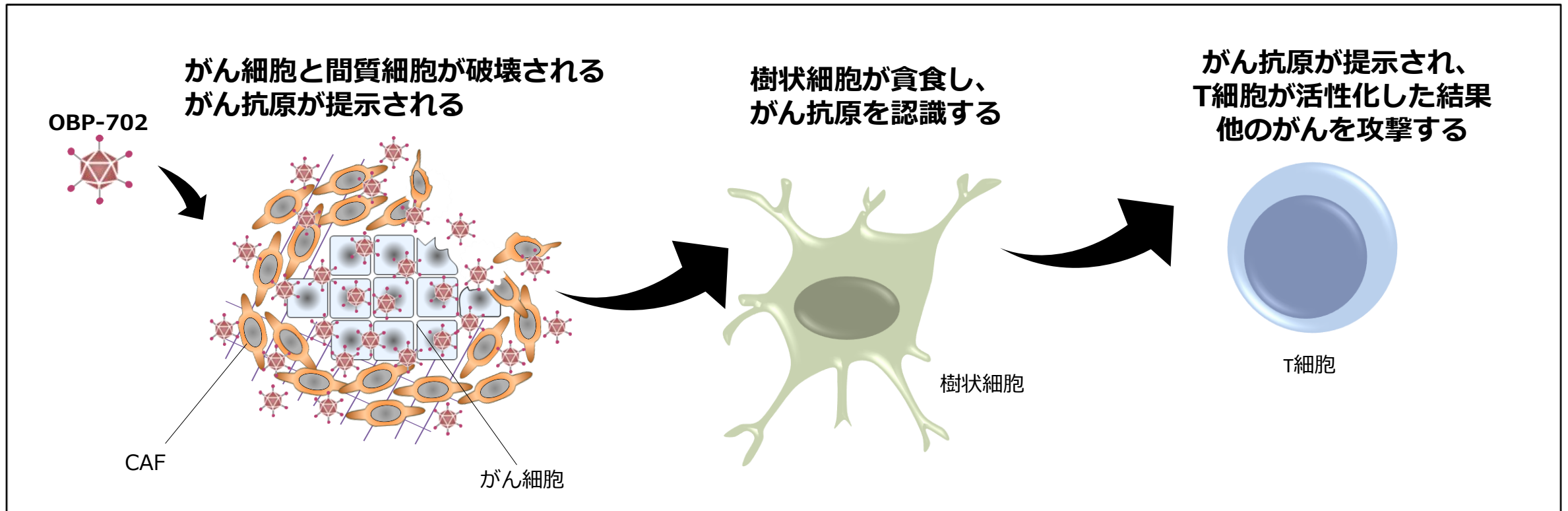
代表者：藤原 俊義

研究開発実施予定期間：2021年度～2023年度（予定）



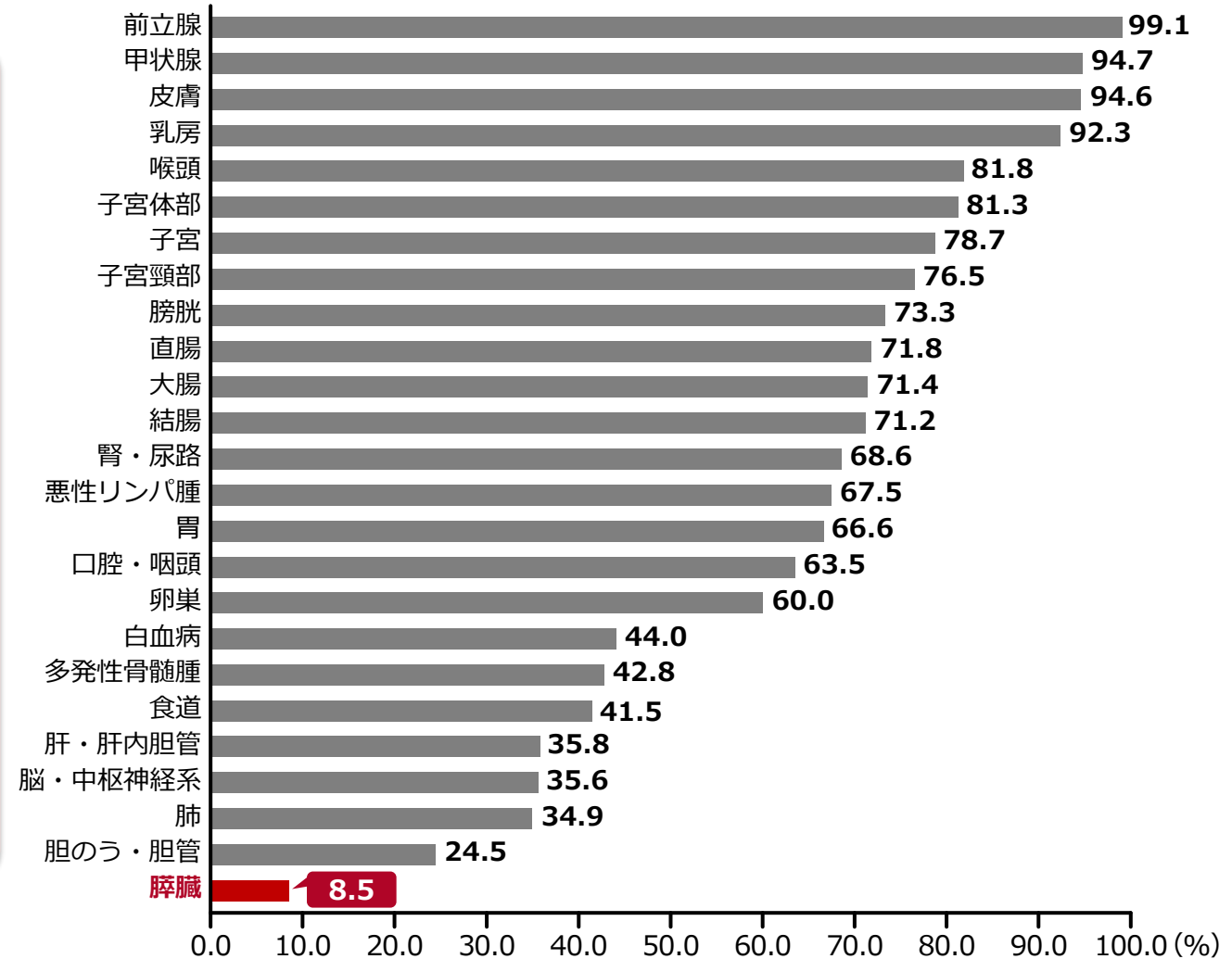
1. がん抑制遺伝子p53を搭載したテロメライシンである
2. 抗がん剤治療の妨げとなる間質細胞（CAF: Cancer Associated Fibroblast）を破壊する
3. アポトーシスとオートファジーの2つ効果で細胞死を誘導する
4. テロメライシンより約10倍～30倍高い活性を示す
5. p53遺伝子欠損・変異がんへの効果が示されている
6. ゲムシタビン耐性膀胱癌モデルにおいて、CPI併用効果が確認された

1. がん細胞の周囲に間質細胞（CAF）が増殖して、治療薬の効果を減弱させている
2. OBP-702が間質細胞（CAF）を破壊することによって、がん組織全体への効果が期待される
3. 間質細胞が多く、既存薬に抵抗するがんに効果が期待される



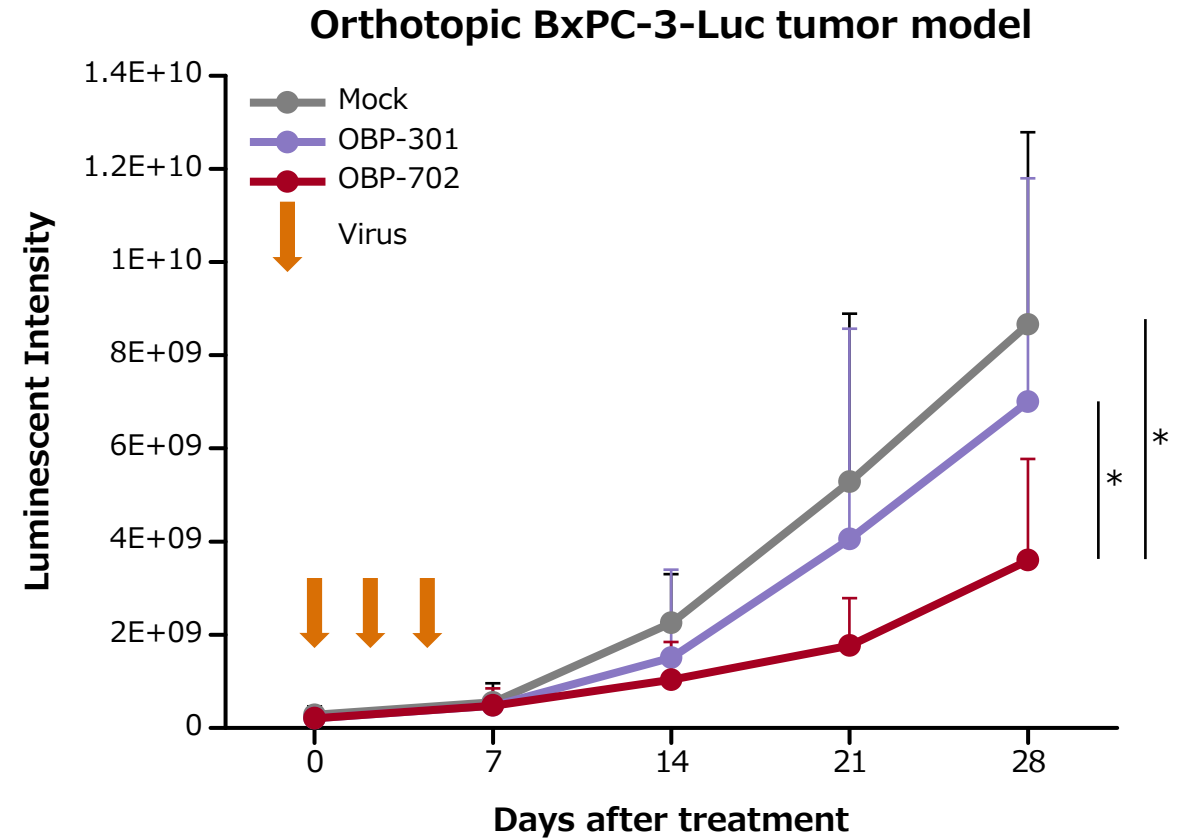
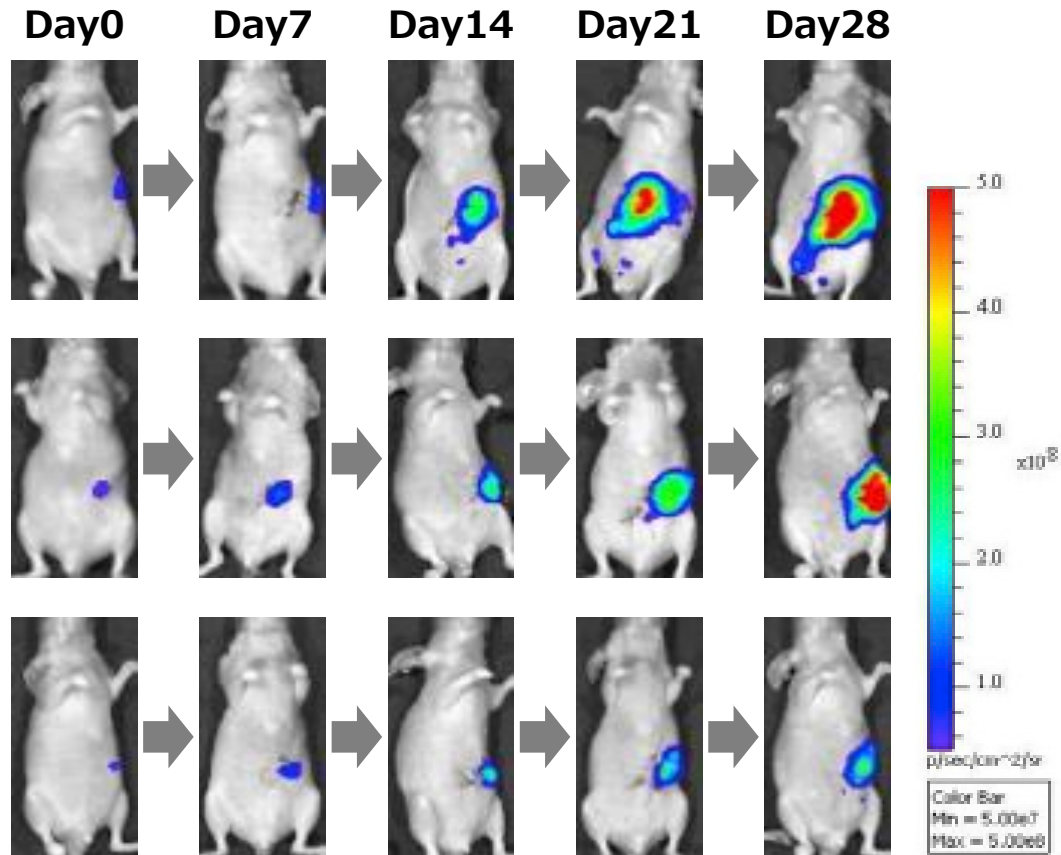
1. 膵臓がんの多くが**早期発見が困難**であり、Stage III～IVで発見される
2. 組織全体に間質細胞が多く、**治療抵抗性**がある
3. 早期に浸潤・転移しやすく、**約7割が手術不可**である
4. 世界の患者数は**約50万人**である
5. 手術が困難な患者に対し、FOLFIRINOX療法、ゲムシタビンとナブパクリタキセル併用療法、ゲムシタビン単独療法、S-1単独療法などの化学療法があるものの、**医療ニーズ満たす余地が大きく存在する**

国内におけるがん種別の相対5年生存率



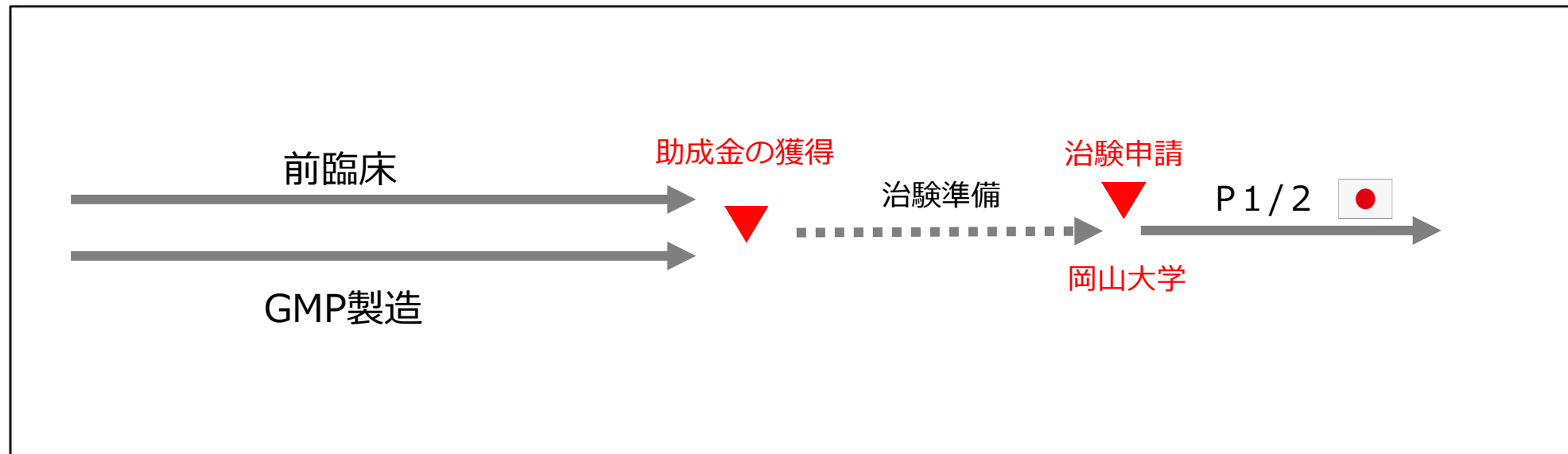
OBP-702はテロメライシンと比較して、すい臓がんの増殖を有意に抑制している

同所性移植モデルにおけるOBP-702の傷害性



1. OBP-702の治験薬を製造し、不足分の前臨床試験を行う方針である
2. 岡山大学が助成金の獲得を目指している
3. 助成金の範囲で、OBP-702の開発を進める

助成金の獲得を前提にした臨床開発計画



	ウイルス名	会社	挿入遺伝子	標的がん種
アデノウイルス	OBP-702	オンコリスバイオファーマ	p53	すい臓がん、卵巣がんなど固形がん
	CG0070	CG Oncology (米国)	GM-CSF	膀胱がん
	ONCOS-102	Targovax AS (ノルウェー)	GM-CSF	皮膚がん
	LOAd703	Lokon Pharma (スウェーデン)	CD40L&4-1BBL	すい臓がん
	TILT-123	Tilt (フィンランド)	TNF- α 、IL-2	各種固形がん
	VCN-01	Therival Biosciences SL (米国)	Hyaluronidase	すい臓がん
ヘルペス	T-VEC	Amgen (米国)	GM-CSF	メラノーマ (承認済み)
	OrienX010	OrienGene (中国)	GM-CSF	メラノーマ、肝臓がん

テロメスキャン (OBP-401)

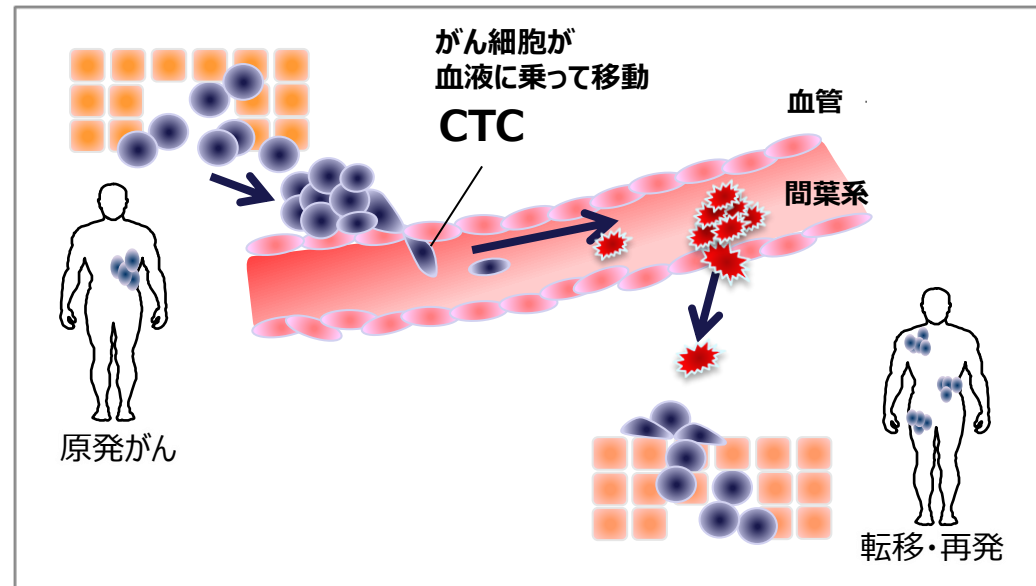
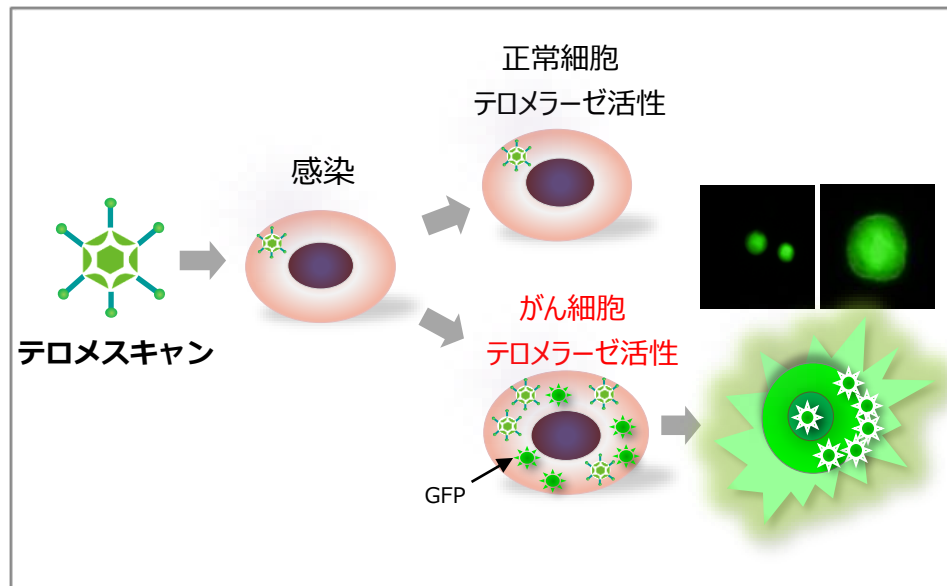
“がん治療の選択肢を増やす”

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



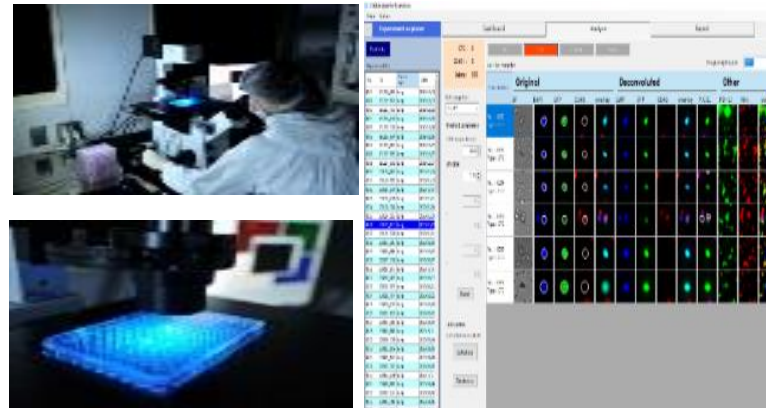
TelomeScan CTC Analysis System-Juntendo 【TCAS-J】

CTC検査プラットフォームの完成を目的として
順天堂大学呼吸器内科、検査部と低侵襲テロメスキャン次世代がん診断学講座”を2024年まで実施

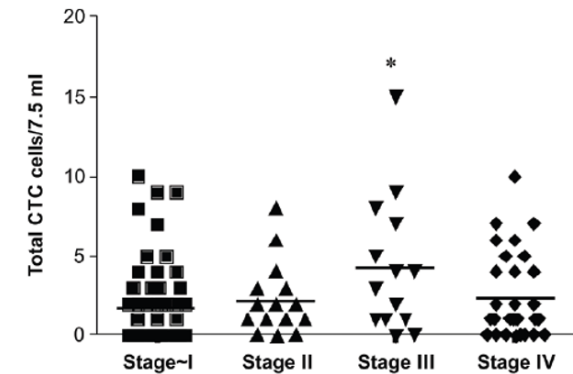
“検査キットの開発”



“自動検出システムの構築”



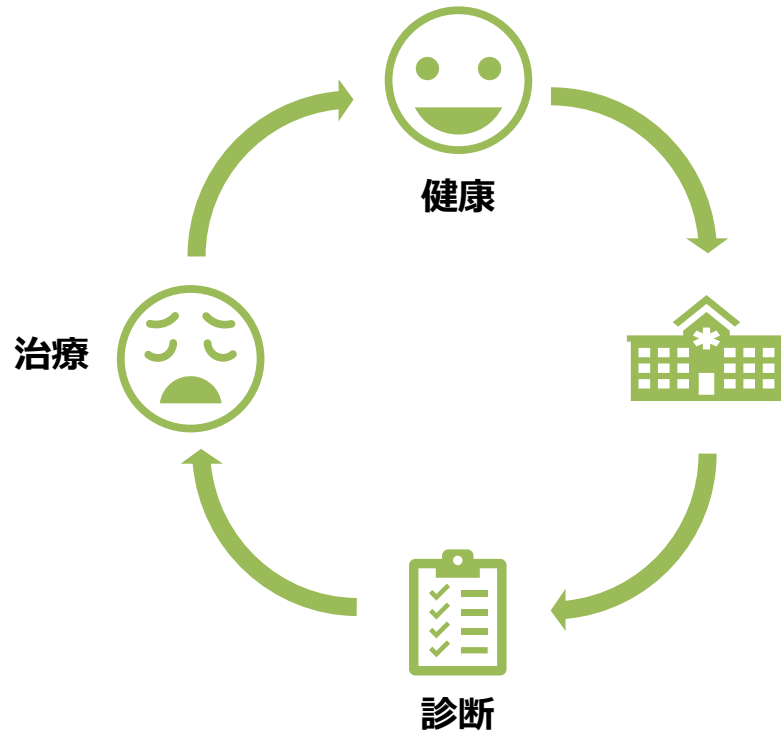
“臨床検体を用いた検証”



課題

AIによる画像学習のための検体数が不足しているため、当初計画より開発進捗が遅れている

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を用いた検査センターの構想





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

1. 当初は各医療機関へ展開することを想定していたが、テロメライシンの承認申請に注力するために相対的な優先順位を引き下げている
2. 現時点で、テロメスキャン検査センター構想の各医療機関への展開時期は未定であり、決定後に開示する方針である

今後の見通し



目標	進行状況
① 国内食道がん放射線併用Phase2試験の組入れ	完了
② 先駆け審査指定の承継	完了
③ 商用GMP製造完了ならびに品質試験法の確立	年内完了予定
④ 自社での国内の製造販売体制の確立	完了
⑤ 国内の販売パートナーの獲得	完了
⑥ 海外の開発・販売パートナーの獲得	完了
⑦ 学会発表： 国立がん研究センター東病院ペムブロリズマブ併用Ph1試験	完了
学会発表： コーネル大学胃がんCPi併用Phase2試験	完了

	目標	進行状況
	PSPのPhase2aの組入れ完了	完了
	C9-ALS/FTDのPhase2aの組入れ完了	完了
	AGSのPhase2a投与開始	完了
	メカニズムの解明 製薬会社との共同開発体制確立	進行中
	新たな助成金の取得及び臨床試験の実施毒性試験の完了	進行中
	AIを用いたCTC検査プラットフォーム確立	進行中

達成

1 “テロメライシン” 食道がん放射線Phase2 トップラインデータ公表



2 “テロメライシン” 商用製造法の確立



3 “オンコリス” 製造販売体制の確立



4 “テロメライシン” 国内販売パートナーとの提携





2024年2月7日

5 “テロメライシン” 胃がんにおける海外製薬会社との共同開発体制の構築



6 “OBP-601” PSP（進行性核上性麻痺）Phase2a トップラインデータ取得



- 1 承認申請**
 - A) 臨床／非臨床データの総括
 - B) CMC関連データの総括
 - C) オーフアン申請
- 2 商用製造の1バッチ完了**
- 3 社内製造販売体制の構築（再生医療等製品製造販売業の許可申請等）**
- 4 サプライチェーンの始動**
富士フイルム 富山化学株式会社
三井倉庫ホールディングス
- 5 米国2nd Lineのペムブロリズマブ併用胃がんPhase2臨床試験の開始**
- 6 PSP（進行性核上性麻痺）Phase2a 48週 最終解析データ開示**
- 7 C-9 ALS（筋萎縮性側索硬化症）/FTD（前頭側頭型認知症）Phase2a 中間（24週）解析データ開示**

本資料の情報に加え、以下のQRコードを読み取ることで、創業以来のオンコリスの経験、現在の事業の背景、創業者の今後の成長への思いなど、当社代表取締役社長浦田による対談形式の動画コンテンツをご覧ください。



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。



Powering Future Oncotherapy

—— Oncolys BioPharma

“Powering Future Oncotherapy”

未来のがん治療にパワーを！