



2024年12月期 第1四半期決算短信〔日本基準〕（非連結）

2024年5月10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） 執行役員（氏名） 秦 耕平（TEL）03(5472)1578
四半期報告書提出予定日 2024年5月10日 配当支払開始予定日 —
四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無
四半期決算説明会開催の有無 : 無

（百万円未満切捨て）

1. 2024年12月期第1四半期の業績（2024年1月1日～2024年3月31日）

（1）経営成績（累計）

（%表示は、対前年同四半期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2024年12月期第1四半期	—	△100.0	△378	—	△363	—	△364	—
2023年12月期第1四半期	35	△81.9	△325	—	△323	—	△323	—

	1株当たり 四半期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益
	円 銭	円 銭
2024年12月期第1四半期	△18.24	—
2023年12月期第1四半期	△18.69	—

（2）財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2024年12月期第1四半期	2,143	1,748	81.2
2023年12月期	2,040	1,474	71.5

（参考）自己資本 2024年12月期第1四半期 1,740百万円 2023年12月期 1,459百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2023年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2024年12月期	—	—	—	—	—
2024年12月期（予想）	—	0.00	—	0.00	0.00

（注）直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

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P. 2「1. 当四半期決算に関する定性的情報（3）業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

※ 注記事項

(1) 四半期財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無

(2) 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 : 無
- 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

(3) 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）
- ② 期末自己株式数
- ③ 期中平均株式数（四半期累計）

2024年12月期 1 Q	20,865,200株	2023年12月期	19,717,100株
2024年12月期 1 Q	88,738株	2023年12月期	88,738株
2024年12月期 1 Q	19,971,483株	2023年12月期 1 Q	17,319,139株

※ 四半期決算短信は公認会計士又は監査法人の四半期レビューの対象外です

※ 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、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。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P. 2「1. 当四半期決算に関する定性的情報（3）業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報	2
(1) 経営成績に関する説明	2
(2) 財政状態に関する説明	2
(3) 業績予想などの将来予測情報に関する説明	2
2. 四半期財務諸表及び主な注記	3
(1) 四半期貸借対照表	3
(2) 四半期損益計算書	5
(3) 四半期財務諸表に関する注記事項	6
(継続企業の前提に関する注記)	6
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	6
(セグメント情報等)	6
(収益認識関係)	6
(重要な後発事象)	7
3. 補足情報	8
(1) 研究開発活動	8

1. 当四半期決算に関する定性的情報

(1) 経営成績に関する説明

当第1四半期(2024年1月1日～2024年3月31日)における日本経済は、インバウンド需要の回復や大手企業を中心とした歴史的な賃上げなど国内経済の改善傾向が示されました。また、このような国内環境を背景に、2024年3月の日銀の金融政策決定会合では、マイナス金利政策を転換し17年ぶりの金利引き上げを決定しました。一方、ロシアのウクライナ侵攻の長期化やイスラエル内戦、米国大統領選挙の動向など世界経済に影響を与えるリスクも潜在化しており、海外経済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・ビジネス活動を展開いたしました。

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・ビジネ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実施され、Transposon社のビジネス活動も進んでいます。

当社活動の詳細に関しては、「3. 補足情報 (1) 研究開発活動」をご確認ください。

当第1四半期の業績は、売上高はなし(前年同四半期は売上高35,000千円)、営業損失は378,872千円(前年同四半期は営業損失325,578千円)となりました。また、営業外収益として、受取利息518千円、為替差益18,668千円を、営業外費用として支払利息1,140千円、株式交付費2,466千円を計上した結果、経常損失363,292千円(前年同四半期は経常損失323,092千円)になりました。その結果、四半期純損失364,233千円(前年同四半期は四半期純損失323,691千円)となりました。

(2) 財政状態に関する説明

当第1四半期会計期間末における資産は、前払金の増加等により2,143,742千円(前事業年度末比5.1%増)となりました。負債は、未払金の減少等により395,583千円(前事業年度末比30.2%減)となりました。純資産は、新株発行による増資により1,748,158千円(前事業年度末比18.6%増)となりました。

(3) 業績予想などの将来予測情報に関する説明

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。

2. 四半期財務諸表及び主な注記

(1) 四半期貸借対照表

(単位：千円)

	前事業年度 (2023年12月31日)	当第1四半期会計期間 (2024年3月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	1,532,844	1,478,109
貯蔵品	5,342	5,192
前払金	282,602	371,698
前払費用	33,338	28,741
未収入金	51,781	111,982
未収消費税等	49,964	60,828
その他	9	—
流動資産合計	1,955,883	2,056,553
固定資産		
有形固定資産		
建物	3,128	3,128
減価償却累計額	△3,128	△3,128
建物（純額）	—	—
機械及び装置	924	924
減価償却累計額	△924	△924
機械及び装置（純額）	—	—
工具、器具及び備品	66,967	66,967
減価償却累計額	△66,967	△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	45,399
敷金及び保証金	20,990	20,750
長期前払費用	135	—
その他	4	4
投資その他の資産合計	84,714	87,189
固定資産合計	84,714	87,189
資産合計	2,040,598	2,143,742

(単位：千円)

	前事業年度 (2023年12月31日)	当第1四半期会計期間 (2024年3月31日)
負債の部		
流動負債		
短期借入金	127,776	124,990
リース債務	7,565	7,070
未払金	193,354	60,460
未払費用	19,119	18,650
未払法人税等	18,844	8,111
預り金	11,870	13,203
流動負債合計	378,531	232,486
固定負債		
長期借入金	161,100	138,884
リース債務	18,729	17,350
退職給付引当金	8,140	6,862
固定負債合計	187,969	163,097
負債合計	566,500	395,583
純資産の部		
株主資本		
資本金	3,623,165	3,945,814
資本剰余金		
資本準備金	1,209,590	1,532,239
資本剰余金合計	1,209,590	1,532,239
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△3,373,199	△3,737,433
利益剰余金合計	△3,373,199	△3,737,433
自己株式	△142	△142
株主資本合計	1,459,413	1,740,478
新株予約権	14,683	7,680
純資産合計	1,474,097	1,748,158
負債純資産合計	2,040,598	2,143,742

(2) 四半期損益計算書

第1四半期累計期間

(単位：千円)

	前第1四半期累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年3月31日)	当第1四半期累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年3月31日)
売上高	35,000	—
売上原価	32,433	—
売上総利益	2,566	—
販売費及び一般管理費	328,145	378,872
営業損失(△)	△325,578	△378,872
営業外収益		
受取利息	149	518
為替差益	3,192	18,668
営業外収益合計	3,341	19,187
営業外費用		
支払利息	855	1,140
株式交付費	—	2,466
営業外費用合計	855	3,607
経常損失(△)	△323,092	△363,292
特別利益		
固定資産売却益	136	—
特別利益合計	136	—
税引前四半期純損失(△)	△322,955	△363,292
法人税、住民税及び事業税	736	940
法人税等合計	736	940
四半期純損失(△)	△323,691	△364,233

(3) 四半期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。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

当四半期会計期間において新株予約権の行使による払込みを受けました。この結果、当第1四半期累計期間において資本金及び資本準備金がそれぞれ322,649千円増加し、当第1四半期会計期間末において資本金が3,945,814千円、資本準備金が1,532,239千円となっております。

(セグメント情報等)

【セグメント情報】

I 前第1四半期累計期間(自 2023年1月1日 至 2023年3月31日)

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。

II 当第1四半期累計期間(自 2024年1月1日 至 2024年3月31日)

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。

(収益認識関係)

顧客との契約から生じる収益を分解した情報

(単位：千円)

	前第1四半期累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年3月31日)	当第1四半期累計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年3月31日)
一時点で移転される財又はサービス	35,000	—
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	35,000	—
その他の収益	—	—
外部顧客への売上高	35,000	—

(重要な後発事象)

1. 譲渡制限付株式報酬としての新株式の発行

当社は2024年3月15日開催の取締役会において、譲渡制限付株式報酬としての新株式の発行を行うことについて決議し、2024年4月2日に払込手続きが完了いたしました。

(1)発行の概要

1.	発行する株式の種類及び数	普通株式 96,400株
2.	発行株式の割当方法	第三者割当ての方法による
3.	発行株式の給付金額	発行株式1株につき 金617円
4.	給付金額の総額	金59,478,800円
5.	現物出資財産の内容及び価額	2024年3月15日開催の当社取締役会決議に基づき、下記6.に記載の当社の使用人に支給される当社に対する金銭報酬債権 金59,478,800円(発行株式1株につき出資される金銭報酬債権の額は金617円)を出資の目的とする。
6.	割当先	当社の使用人 27名 96,400株
7.	発行株式と引換えにする財産の給付期日	2024年4月2日
8.	増加する資本金及び資本準備金の額	増加する資本金の額 金29,787,600円 増加する資本準備金の額 金29,691,200円
9.	譲渡制限期間	2024年4月2日から2026年5月31日

(2)発行の目的及び理由

当社は、当社及び当社子会社の役社員が株価変動のメリットとリスクを株主の皆様と共有し、株価上昇及び企業価値向上への貢献意欲を従来以上に高めることを目的として、譲渡制限付株式を交付する株式報酬制度(以下、「本制度」という。)を導入しております。当社は、2024年3月15日開催の取締役会により、2024年4月2日から2026年5月31日までの期間に係る譲渡制限付株式報酬として、当社の使用人27名(以下、総称して「割当対象者」という。)に対し、金銭報酬債権合計59,478,800円を支給し、割当対象者が当該金銭報酬債権の全部を現物出資の方法によって給付することにより、特定譲渡制限付株式として当社普通株式96,400株を割り当てることを決議いたしました。

なお、割当対象者が株価変動のメリットとデメリットを株主の皆様と共有し、株価上昇及び企業価値向上への貢献意欲を従来以上に高めるという本制度の導入目的の実現を目指すため、譲渡制限期間を2.1年間としております。

3. 補足情報

(1) 研究開発活動

当社の当第1四半期累計期間における創薬事業の研究開発費は、222,142千円となりました。なお、当第1四半期累計期間における研究開発活動の状況は以下のとおりです。

1) 研究開発体制について

2024年3月31日現在、研究開発部門は21名在籍しており、これは総従業員数の55.3%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 Merck Sharp & Dohme LLC.（以下、「MSD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MSD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2次治療胃がん・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。

なお、18ヶ月（78週）時点の局所奏効率は63.9%であり、そのうち局所完全奏効率は50.0%でした。また、18ヶ月時点での全生存率は53%でしたが、がんに関連した生存率は70%であり、局所奏効例のがん関連生存率は90%でした。これらの結果から、食道がん局所への効果が患者の生存率を高めた可能性が示唆されるとともに、食道がん患者のQoL（Quality of Life）評価である嚥下障害は有症状患者の71%に改善が認められました。

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、サーモフィッシュャーグループのヘノジェン社（ベルギー）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ともに、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、富士フイルム富山化学と2024年2月に販売提携契約を締結しました。富士フイルム富山化学が指定した医薬品卸会社を通じて、テロメライシンは医療現場に提供される見込みです。

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、当社は富士フイ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。従って、当社はテロメライシン自体の品質・有効性並びに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予定です。

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、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月から米国コーネル大学を中心に開始されました。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併用2次治療胃がん・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、MSD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MSD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、MSD社は免疫チェックポイント阻害剤ペムプ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MSD社で折半します。

本治験は、抗PD-1/PD-L1抗体を含む1次治療に抵抗性のある胃がん・胃食道接合部がん患者を対象に、2次治療としてテロメライシンとペムプロリズマブを併用します。抗PD-1/PD-L1抗体を販売する大手製薬会社にとって、このテロメライシンを併用した胃がんの2次治療が確立された場合には、自社の医薬品のがん治療に貢献できる機会が拡大する可能性があります。なお、本治験はIRBを通過し、投与開始に向けて準備を進めています。

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オンコロジーグループにより、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例の組み入れを完了し、第二段階の組み入れを進めています。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 2 b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)の研究成果から、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 2 a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Phase 2a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。Transposon社が、2024年3月に第18回 国際アルツハイマー・パーキンソン病学会 (AD/PD2024) で発表した主な内容は下記のとおりです。

- ① 平均年齢69歳、平均罹病期間3.8年のPSP患者42例がこの試験に組み込まれました。
- ② 二重盲検試験で実施され、6ヶ月間の投与の後、全症例がOBP-601の400mg投与に切り替えられて6ヶ月間フォローアップされました。
- ③ OBP-601はPSP患者に対して忍容性を示し、重篤な副作用は意識消失(1例、100mg群)でした。
- ④ 脳脊髄液中のニューロフィラメント軽鎖(以下、「NfL」)は400mg投与群では持続的に低下を示しましたが、プラセボ群では24週にかけて上昇し、フォローアップ期間に400mgに切り替えられて低下を示しました。
- ⑤ 脳脊髄液中のIL-6も同様の变化を示しました。
- ⑥ 日常動作スケール (PSPRS) ではOBP-601は症状の悪化を遅らせました。
- ⑦ OBP-601は脳内のLINE-1を抑制することによって、神経の炎症による神経破壊を抑制して、病態の進展を

抑制することが示唆されました。

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、長期フォローアップも終了しました。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。なお、本試験の24週までの主な中間結果は下記のとおりです。

① OBP-601は、投与開始から24週までに、神経変性、炎症性神経変性及びマイクログリア活性化を反映するバイオマーカーである脳脊髄液中のNFL、tau、UCHL1、YKL-40、及びオステオポンチンの値の上昇を抑制させました。

② ALS患者の病態の進展と相関する客観的な呼吸機能評価尺度である肺活量（Vital Capacity）において、早期の臨床効果が認められました。

③ C9orf72関連のFTDはアルツハイマー病と同様の中枢神経系の病理所見を示すことが知られており、今回のバイオマーカーの変化はアルツハイマー病への応用を示唆しました。

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。また、同ライセンス契約に基づき、Transposon社はビジネス活動を行い、第三者である製薬会社などにOBP-601のライセンスを再許諾（サブライセンス）することが可能です。Transposon社が第三者とOBP-601のサブライセンス契約などのビジネス成果を達成した場合は、Transposon社がサブライセンス先から得た収入の一定割合を、当社がTransposon社から受領します。

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。また、当社はTransposon社のビジネス成果に期待しています。

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

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ン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ン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
テロメラインシン (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
テロメスキヤン (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