



Powering Future Oncotherapy
—— Oncolys BioPharma

決算説明会資料

オンコリスバイオファーマ株式会社（証券コード：4588）
2025年2月7日



資料中の将来に係わ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判決等がありますが、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、その内容は宣伝広告、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。

なお、大株主や取引先、並びに臨床現場やアカデミア・規制当局への投資目的のお問い合わせは、ご遠慮ください。

当社が発信する各種情報をお受取り頂くために、
メール配信のご登録をお願いします。

https://www.oncolys.com/jp/ir_mail.html



01 決算ハイライト P. 5

02 「2024年にご期待頂きたい事項」 振り返り P. 10

OBP-301

OBP-601

03 まとめ 「2025年にご期待頂きたい事項」 P. 30
2025年12月末のパイプラインの見通し

財政状態の概況



1. 新株発行による資金調達の結果、現預金残高は8億円以上増加した。
2. OBP-301の製品化製造の進展により、委託先への前払金が約2億円増加した。

単位：百万円（百万円未満を単純切捨て）

資産の部	2023年12月末	2024年12月末	増減額	負債の部	2023年12月末	2024年12月末	増減額
現金及び預金	1,532	2,411	879	借入金合計	288	294	6
前払金	282	480	198	未払金	193	52	△141
未収入金	51	102	51	負債合計	566	446	△120
流動資産合計	1,955	3,098	1,143				
				資本金	3,623	5,108	1,485
				資本準備金	1,209	2,694	1,485
固定資産合計	84	100	16	純資産合計	1,474	2,752	1,278
資産合計	2,040	3,198	1,158	負債純資産合計	2,040	3,198	1,158

経営成績の概況



単位：百万円（百万円未満を単純切捨て）

	2023年 1-12月	2024年 1-12月	増減額	主な要因
売上高	63	31	△32	OBP-702に関する受託収入が発生しなかった。
営業利益	△1,929	△1,681	248	研究開発費：262百万円減。 研究開発費実績 1,351百万円（2023年） ⇒ 1,088百万円（2024年）
経常利益	△1,913	△1,663	250	円安により為替差益が増加した。 \$ = ¥ 141.83（2023年12月末） ⇒ ¥ 158.18（2024年12月末）
当期純利益	△1,938	△1,684	254	上記の要因により、当期純損失は前年度比で254百万円改善した。

OBP-301の製品製造関連の前払金の費用認識時期が後ろずれしたことを中心に、研究開発費が262百万円減少したため、当期純利益が前年同期比で254百万円ほど改善した。

キャッシュ・フローの概況



単位：百万円（百万円未満を単純切捨て）

	2023年 1-12月	2024年 1-12月	増減額	主な要因
営業CF	△1,336	△2,020	△684	税引前当期純損失は改善したが、前払金の増加や未払金の減少などにより、営業CFのマイナスは拡大した。
投資CF	△5	△4	1	—
財務CF	1,142	2,879	1,737	株式の発行による収入は1,667百万円増加した。
換算差額	21	23	2	—
合計CF	△178	878	1,056	営業CFはマイナス684百万円となったが、財務CFの改善1,737百万円で賄い、合計CFは1,056百万円改善した。
期末の現金及び 現金同等物	1,287	2,165	878	—

期末の現金及び現金同等物は、878百万円増加して2,165百万円になった。

当社の業績は、未だ安定した収入基盤は小さく、OBP-301の販売提携契約に伴うマイルストーン収入の有無や、Transposon社による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。

01 決算ハイライト **P. 5**

02 「2024年にご期待頂きたい事項」 振り返り **P. 10**

OBP-301

OBP-601

03 まとめ 「2025年にご期待頂きたい事項」 **P. 30**
2025年12月末のパイプラインの見通し

パイプライン一覧：2024年12月末時点



開発品	対象疾患	臨床試験（治験）				申請承認	提携導出先
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
OBP-301	食道がん	先駆け審査制度指定		Phase 2	Phase 3	Phase 2データで国内承認申請予定	FUJIFILM 富士フイルム 富山化学株式会社 販売提携
		オーファン指定					
	胃がん						
	肝細胞がん						
OBP-601	PSP※1	Fast Track指定			Phase 3計画中		TRANSPONON 導出済
	C9-ALS※2/FTD※3				Phase 3計画中		
	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
OBP-401	CTC検出						

※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：アイカルディ・ゴーティエ症候群

2024年のアチーブメント



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	未達成
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		✓
5	米国2nd Lineのペムブロリスマブ併用胃がんPhase2臨床試験の開始		✓
6	PSP（進行性核上性麻痺）Phase2 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）Phase2 中間（24週）解析データ開示		✓
8	48週最終解析データに関する学会でのデータ開示		✓

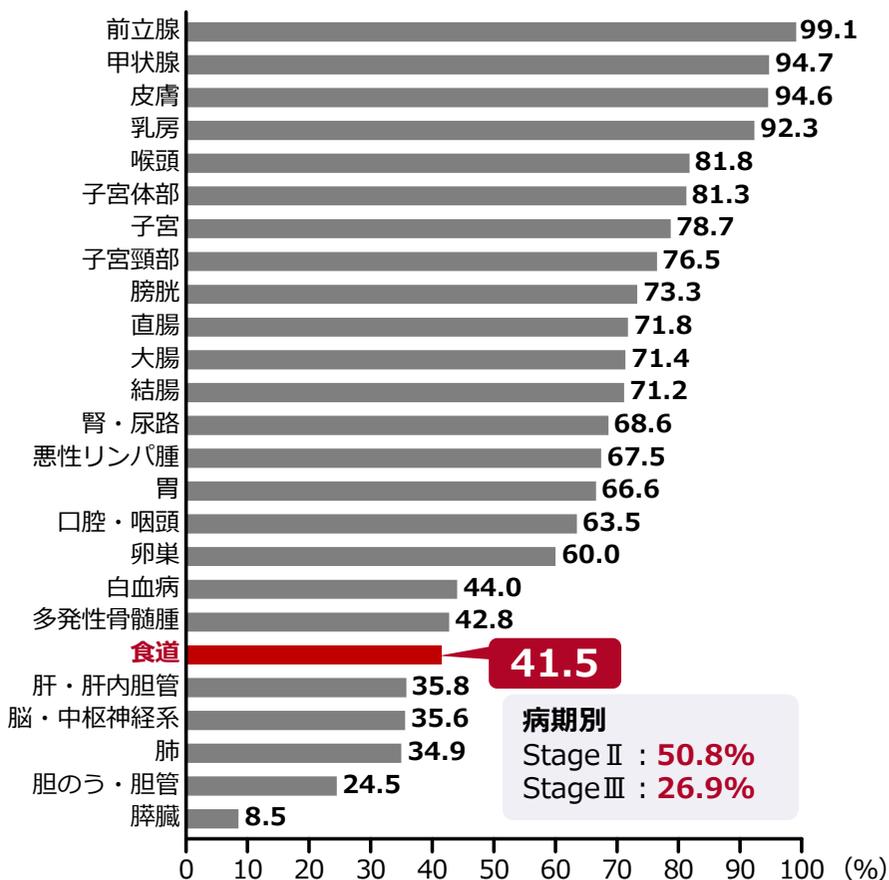
※：但し、OBP-601に関するデータの開示はTransposon社の合意が得られた場合に限る。

OBP-301

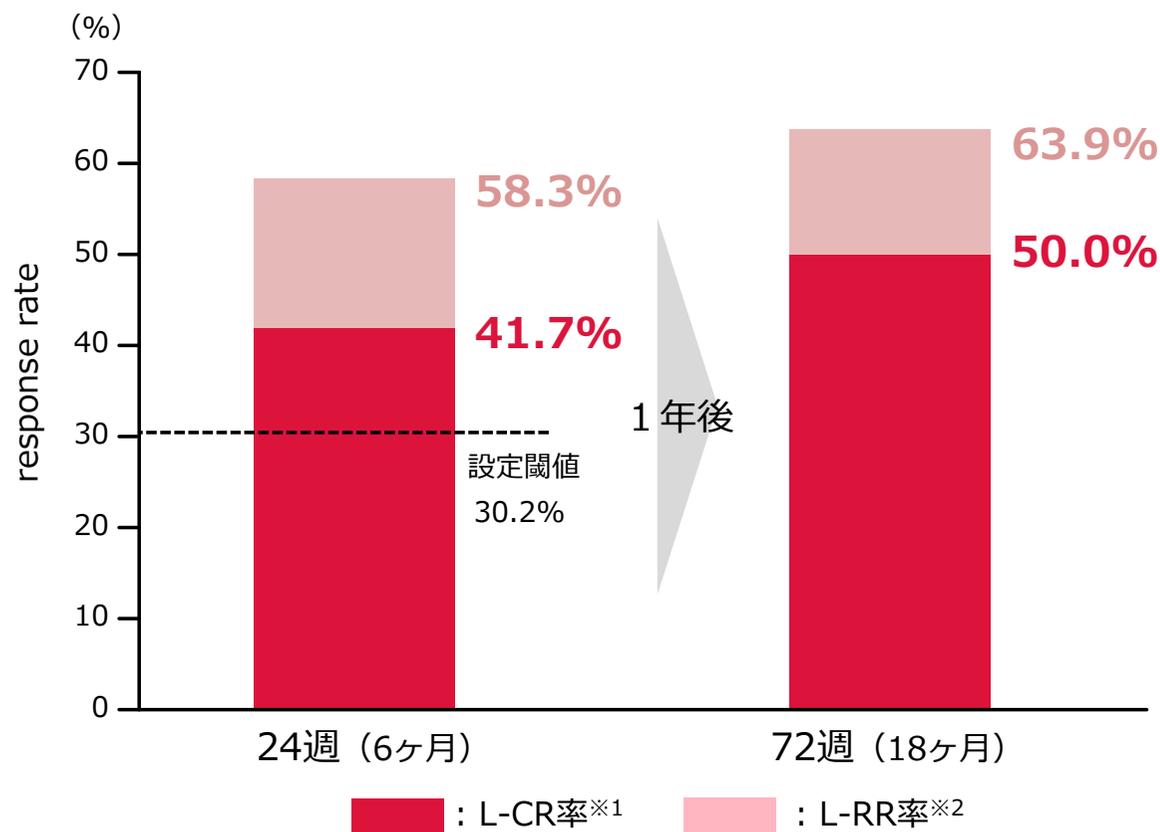
① 臨床データの総括 局所奏効率



国内におけるがん種別の相対5年生存率



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)

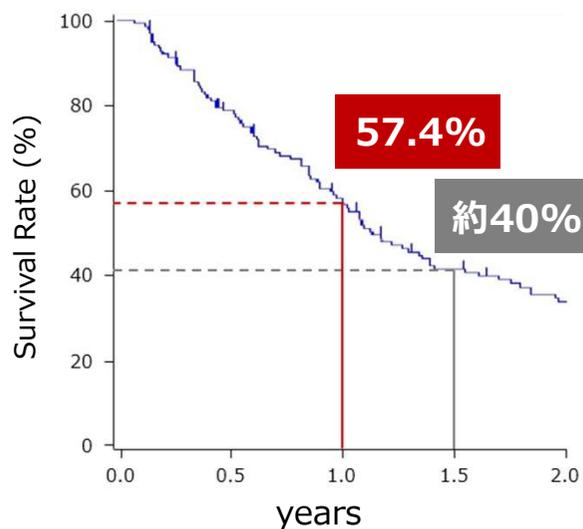


※1 L-CR率 (局所完全奏効率) 但し、局所奏効には、『内視鏡観察上はL-CRに相当する所見が得られたが、L-CR判定時の生検病理診断が欠測した症例』を含む。
 ※2 L-RR率 (局所著効率)

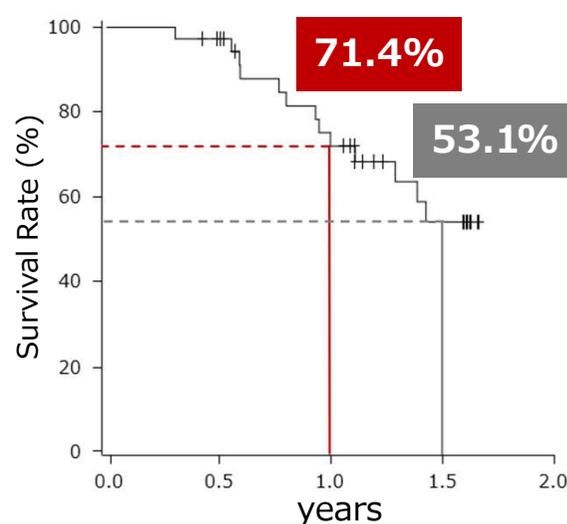
OBP-301により局所奏効が確認された症例では生存確率が高い

Survival Rate

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



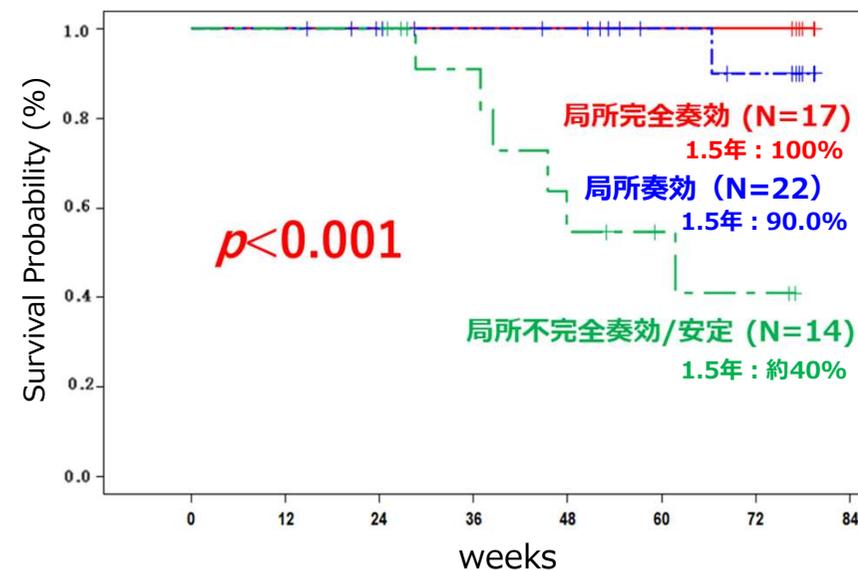
OBP101JP試験
OBP-301 + 放射線療法
(N=36)



Cancer-specific survival

(Follow-up期間を含む)

がん関連生存率

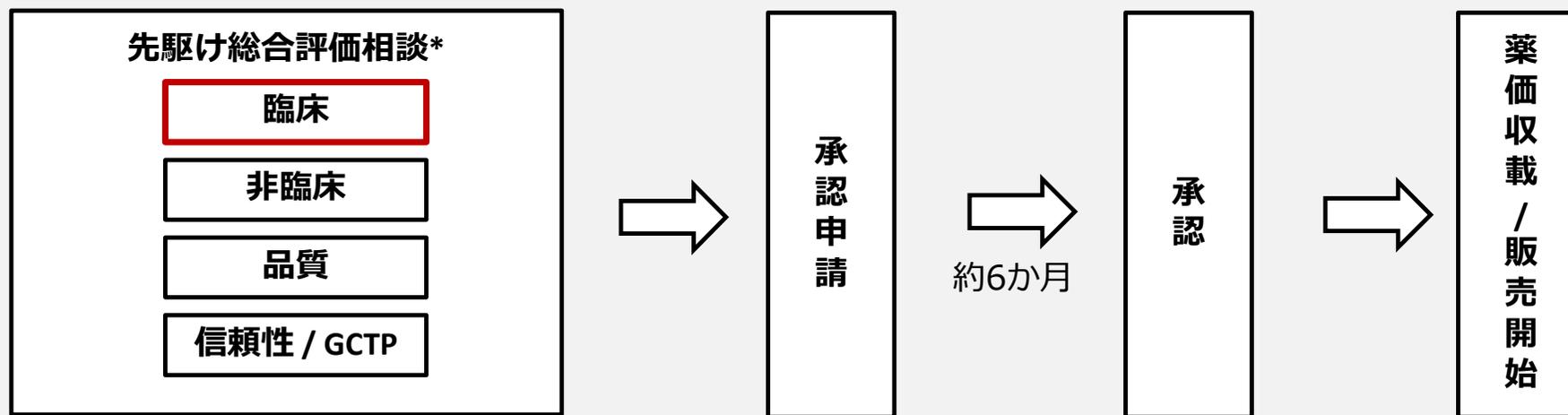


① 食道がん放射線Phase2試験の結論



1. 主要評価項目であった24週目のL-CR率は**41.7%**であり、目標として設定した30.2%を上回った。
2. 24週目（6ヶ月）の局所奏功率（L-CR+L-RR）は**58.3%**であった。
3. 18ヶ月時点でのL-CR率は**50.0%**となり、局所奏功率は**63.9%**となった。
4. 局所奏功例のがん関連生存率は**90%**となった。
5. RECISTによるL-CR率は**41.7%**であり、論文で報告されている15~19%よりも高値であった。
6. 主な副作用は、風邪関連症状（51.4%）とリンパ球数の低下（48.6%）であった。
7. OBP-301は、高齢な食道がん患者に対して、安全に投与ができた。

1 承認申請に向けて



*先駆け総合評価相談：提出可能なデータをもとに承認申請前から評価を行い、実質的に審査を前倒しする仕組み。

1. 臨床データ
⇒先駆け総合評価相談の開始をPMDAと合意した。2025年上半期に開始する。
2. 非臨床、CMC（品質）、信頼性/GCTP
⇒順次、先駆け総合評価相談を開始する。
3. オーフアン申請
⇒先駆け総合評価相談の進展と並行して、オーファン申請を行う。

2025年12月期の国内承認申請を目指す

1. OBP-301

①先駆け総合評価

1) **市販後臨床試験計画**の提出を要請された。

②食道がん領域での効能追加

1) OBP-301の消化器領域に関する研究会を発足させる。

2) 単独投与の可能性を検討する。

3) 免疫CP阻害薬併用の可能性を検討する。

③食道がん以外での効能追加

1) 口腔がんなどを検討する。

2. OBP-702

助成金を獲得して、Phase1用の治験薬を製造する。

② 商用製造の状況

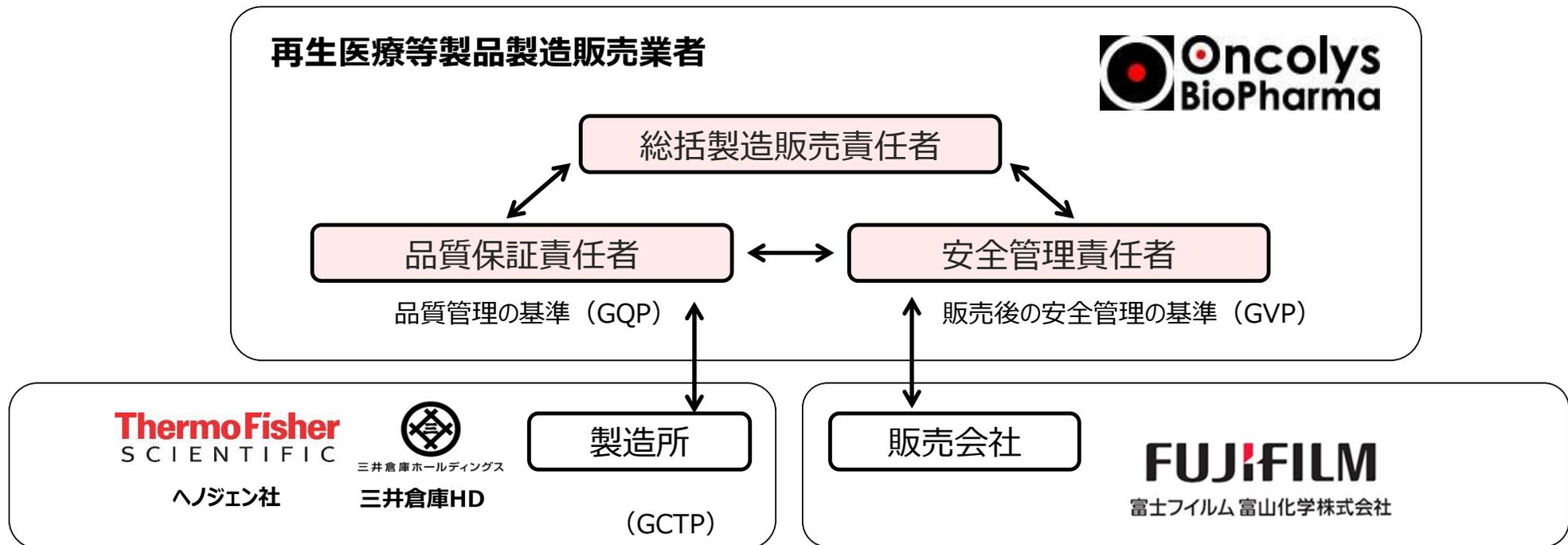


1. 原薬製造を開始し、2024年11月に十分な収量の原薬を確保した。
2. 製剤工程を新処方に変更したことで、ウイルス凝集体の発生は回避した。
3. 新処方製剤の可否について、PMDAと確認する。
4. 出荷前の品質試験が、国内で実施できるよう準備を進めている。

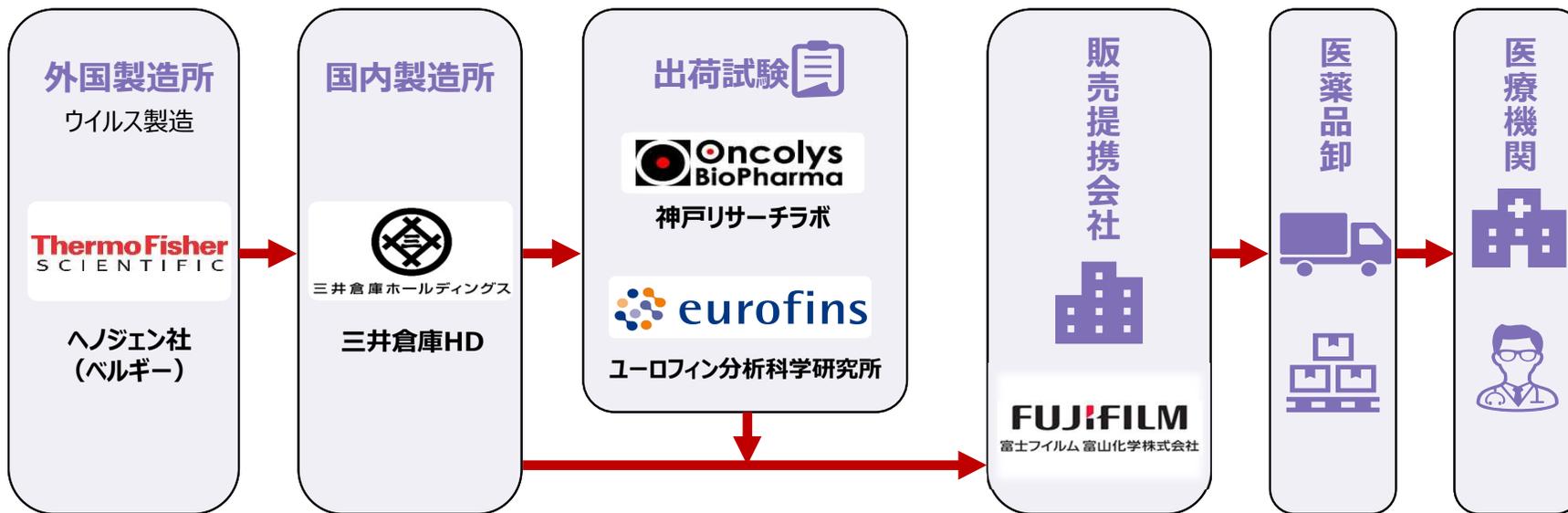
2025年12月期に新製剤での12か月安定性データをクリアする

3 製造販売体制の構築

1. 『再生医療等製品製造販売業』の業許可申請を東京都に行った。
2. ヘノジエン社は、『外国製造所』の認定を取得した。
3. 三井倉庫HDは、『再生医療等製品向けの製造業許可』を取得した。



④ サプライチェーン



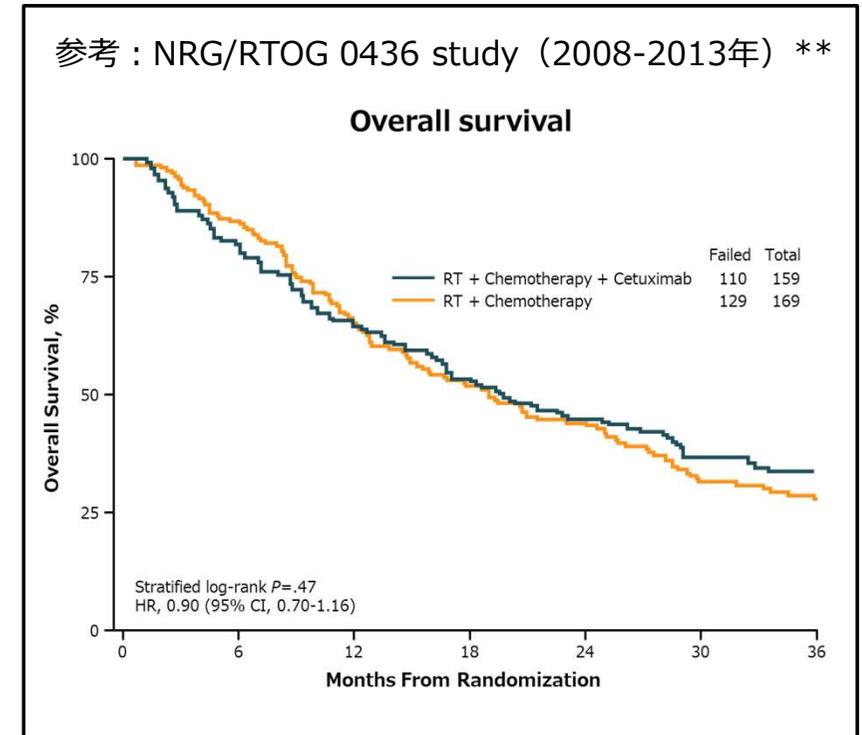
	2024年の実績	今後の計画
富士フイルム富山化学	<ol style="list-style-type: none"> 1. 販売提携契約の締結 2. 販売体制の整備 	<ol style="list-style-type: none"> 1. 製品供給契約の締結 2. 品質契約の締結
三井倉庫HD	<ol style="list-style-type: none"> 1. 流通体制の整備 2. 再生医療等製品向けの製造業許可 	<ol style="list-style-type: none"> 1. 最終製品製造に関する品質協定書の締結 2. 国際/国内輸送テストの実施

化学放射線併用Phase 1 試験：ASCO-GIで発表



目的	OBP-301+化学放射線療法の安全性および探索的な有効性を評価
投与薬	1. カルボプラチン、パクリタキセル（化学療法） 2. 放射線治療 3. OBP-301
対象	手術不可能な食道がん及び胃食道接合部がん患者
登録人数	15例（62～87歳）
clinical CR率*	100% (n=13)
主な副作用	軽度の風邪関連症状（20%）中等度の食道炎（7%）

*clinical Complete Response率: 内視鏡的所見や病理生検によって、食道癌原発病変（OBP-301治療の場合には投与箇所）の腫瘍消失が確認された割合



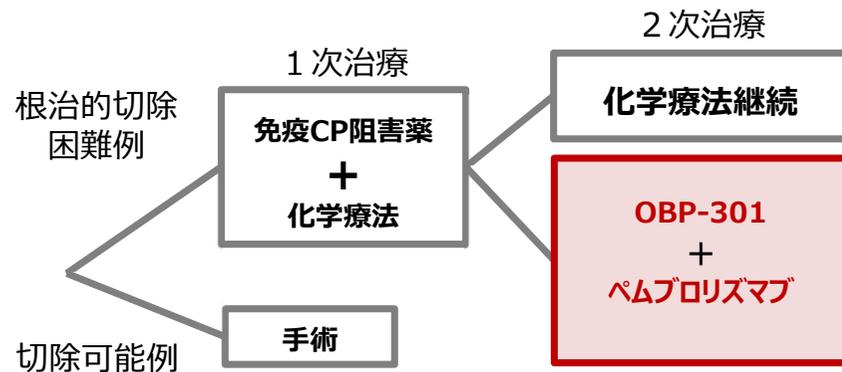
**NRG発表資料を基に当社作成。

1. 大規模な臨床試験で再確認するためにPhase2試験を検討する。
2. FDAとのEnd of Phase1 Meetingを計画している。

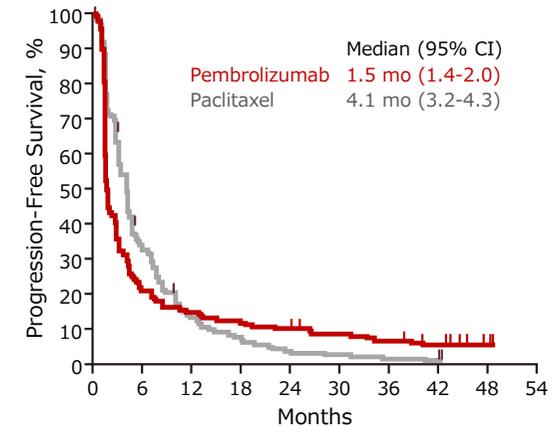
5 米国2nd Lineのペムブロリズマブ併用胃癌Phase2臨床試験



- 治療法が確立していない胃癌2次治療での新たな選択肢を目指す



- KEYNOTE-061試験におけるペムブロリズマブのPFS



メルク社、コーネル大学との共同開発体制の構築

目標13例のうち5例の被験者に投与を行っている。

免疫CP阻害薬が効かなくなった症例に、その効果が出るかどうかを検証する試験



**メディジェン社がOBP-301の台湾での商業化を進め、
当社は上市後に製品販売収入やロイヤリティ収入を受け取る。**

OBP-601

⑥ PSP（進行性核上性麻痺）Phase2



1. 米国食品医薬品局（FDA）より2024年5月に**ファストトラックに指定**された。
2. Phase2試験における48w最終解析データを2024年7月に開示した。
 - ① 神経変性疾患の主要バイオマーカーである**脳脊髄液中のNfL**を、プラセボと比較して**上昇を抑制**させた。
 - ② 炎症性神経変性のバイオマーカーである**IL-6**を**脳脊髄液中**で**低下**させた。
 - ③ 1日1回、最大48週間、経口投与され、**高い忍容性が確認**された。

2024年7月にFDAと“End of Phase2 Meeting”を実施した。

Phase2試験におけるC9-ALSに関する48w最終解析データを開示した。

- ① C9-ALS患者の死亡率と相関する呼吸機能の客観的な指標である**肺活量**で、プラセボ投与群と比較して**約50%進行を抑制**した。
- ② ALS機能評価スケール (ALSFRS-R) を用いた評価では、**病勢進行の抑制**効果を示した。
- ③ NfL、NfH、IL-6を含む神経変性及び神経炎症の**主要バイオマーカーを低下**させた。
- ④ C9-ALS及びPSP (進行性核上性麻痺) における第2相試験を総合的に解析したメタアナリシスにおいて、OBP-601投与群で**有意なNfL値の低下を示した**。

1. 2024年10-12月の学会等で48週最終解析データを報告した。

2. FDAと2025年1月に、ALSのピボタル試験に向けた“End of Phase2 Meeting”を行った。

1. PSP : パートナリングまたはT社が資金調達を行い、**Phase3試験を2025年に開始予定**。
2. ALS : 大規模な**Phase2/3試験を2025年に開始予定**。
3. **アルツハイマー病 : Phase2試験を2025年に開始予定**。
4. グローバル製薬企業への再ライセンス、IPO、M&Aなどを考慮中。

①2020年に総額3億ドルのライセンス契約済み

②再ライセンス/M&Aなどの
T社ビジネス成果を期待する



④契約一時金/MS/買収対価の一定割合を受領する。
M&A後もライセンス契約は継続する。

③契約一時金やMS収入/株式買収代金
などが発生する

神経難病領域におけるディールサイズ



	OBP-601	トフェルセン（米・欧・中・日で承認済み）
安全性	長期毒性試験が終了しており、 長期間の安全な投与 が期待される。	臨床試験で安全性が確認され、各国当局が承認済み。但し、脊髄炎、無菌性髄膜炎、頭蓋内圧亢進等の髄腔内投与に伴う重篤な副作用が報告されている。
有効性	高い脳内移行性 を有し、早期臨床試験の段階でバイオマーカーのみならず、臨床効果も示唆された。	大規模臨床試験で臨床スコアの変化は有意ではなかったが、バイオマーカー変化に基づいて承認された。
取扱い	1日1回の 経口での投与	侵襲を伴う腰椎穿刺術にて髄腔内への投与 (初回、2w後、4w後に投与し、以降4wごとに医療機関にて投与)

<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年12月	Roche	米Sarepta	1725億円	3525億円	筋ジストロフィー	遺伝子治療
2020年8月	Biogen	米Denali	1537億円	3225億円	パーキンソン病	低分子
2020年11月	Biogen	米Sage	2287億円	4687億円	精神疾患	低分子

※ 1ドル150円換算

01 決算ハイライト P. 5

02 「2024年にご期待頂きたい事項」 振り返り P. 10

OBP-301

OBP-601

03 まとめ 「2025年にご期待頂きたい事項」 P. 30
2025年12月末のパイプラインの見通し

OBP-301

1 先駆け総合評価相談を開始

2 国内承認申請

3 国内オーファン申請

4 再生医療等製品製造販売業の業許可取得

5 新製剤での12か月の安定性試験のクリア

6 内視鏡投与に関する知的財産権の獲得

OBP-601

7 ピボタル試験の開始とマイルストーン受領

8 アルツハイマー病で新たな試験を開始

2025年12月末のパイプラインの見通し



開発品	対象疾患	臨床試験（治験）				承認申請	承認
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
OBP-301	食道がん	先駆け審査制度指定 					
		オーファン指定 					
	胃がん						
	肝細胞がん	  					
OBP-601	PSP※1	Fast Track指定 					
	C9-ALS※2/FTD※3	 					
	AGS※4						
	アルツハイマー病						
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
OBP-401	CTC検出						

※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：アイカルディ・ゴーティエ症候群

「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**





Powering Future Oncotherapy

—— Oncolys BioPharma

**“Powering Future Oncotherapy”
未来のがん治療に新たな選択肢を！**