2025年12月期　第１四半期決算短信〔日本基準〕(非連結)

2025年５月９日

上 場 会 社 名　　オンコリスバイオファーマ株式会社　　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
配当支払開始予定日　　ー
決算補足説明資料作成の有無　　：無
決算説明会開催の有無　　：無

（百万円未満切捨て）

１．2025年12月期第１四半期の業績（2025年１月１日～2025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	%
2025年12月期第１四半期	ー	ー	△785	ー	△810	ー	△811	ー
2024年12月期第１四半期	ー	△100.0	△378	ー	△363	ー	△364	ー

	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
2025年12月期第１四半期	△32.66	ー
2024年12月期第１四半期	△18.24	ー

（２）財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2025年12月期第１四半期	2,314	1,940	83.5
2024年12月期	3,198	2,752	85.8

（参考）　自己資本　2025年12月期第１四半期　1,932百万円　2024年12月期　2,744百万円

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
2024年12月期	ー	0.00	ー	0.00	0.00
2025年12月期	ー				
2025年12月期(予想)		0.00	ー	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

３．2025年12月期の業績予想（2025年１月１日～2025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）	2025年12月期１Ｑ	24,961,600株	2024年12月期	24,961,600株
②　期末自己株式数	2025年12月期１Ｑ	111,238株	2024年12月期	101,238株
③　期中平均株式数（四半期累計）	2025年12月期１Ｑ	24,850,917株	2024年12月期１Ｑ	19,971,483株

※　添付される四半期財務諸表に対する公認会計士又は監査法人によるレビュー　：　無

※　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
（キャッシュ・フロー計算書に関する注記） …… 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
（１株当たり情報） …… 7
（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(2025年１月１日～2025年３月31日)における日本経済は、2025年4月に発表された日銀短観で、大企業製造業の景気判断を示す指数が4期ぶりに悪化するなど、アメリカのトランプ政権が打ち出す関税政策への懸念が表れ始めています。また、海外経済に関しても、国際安全保障の分担変更を背景に米国による追加関税が増大しており、イスラエル紛争やウクライナなどの地政学的リスクと併せて、不安定な状況は今後も継続する見通しです。

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、特に、腫瘍溶解ウイルス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。当社は、2025年４月に再生医療等製品製造販売業の業許可を取得しました。OBP-301の国内ビジネスを製薬会社モデルで展開することにより、従来のライセンス依存の単一の事業モデルから、製薬会社型とライセンス型の『ハイブリッド型事業モデル』へ移行していきます。また、LINE-1阻害剤OBP-601（censavudine）は、Transposon Therapeutics, Inc.（以下「トランスポゾン社」）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、トランスポゾン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(前年同四半期も売上高なし)、営業損失は785,202千円(前年同四半期は営業損失378,872千円)となりました。また、営業外収益として、受取利息1,348千円、営業外費用として支払利息1,085千円、為替差損21,830千円、譲渡制限付株式報酬償却4,034千円を計上した結果、経常損失810,789千円(前年同四半期は経常損失363,292千円)になりました。その結果、四半期純損失811,653千円(前年同四半期は四半期純損失364,233千円)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、現金及び預金の減少等により2,314,439千円(前事業年度末比27.6%減)となりました。負債は、借入金の減少等により373,883千円(前事業年度末比16.3%減)となりました。純資産は利益剰余金の減少により1,940,555千円(前事業年度末比29.5%減)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、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、トランスポゾン社による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、開示を控えさせて頂きます。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頂きます。

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 (2024年12月31日)	当第１四半期会計期間 (2025年３月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	2,411,001	1,709,976
貯蔵品	4,578	4,251
前払金	480,969	230,505
前払費用	53,448	47,750
未収入金	102,417	170,040
未収消費税等	45,829	56,026
関係会社短期貸付金	―	29,906
流動資産合計	3,098,244	2,248,457
固定資産		
有形固定資産		
建物	3,128	3,520
減価償却累計額	△3,128	△3,139
建物（純額）	―	381
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	67,782	67,782
減価償却累計額	△67,782	△67,782
工具、器具及び備品（純額）	―	―
有形固定資産合計	―	381
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	47,445	14,953
敷金及び保証金	22,174	26,100
長期前払費用	9,955	3,507
その他	4	4
投資その他の資産合計	100,614	65,600
固定資産合計	100,614	65,981
資産合計	3,198,858	2,314,439

（単位：千円）

	前事業年度 (2024年12月31日)	当第１四半期会計期間 (2025年３月31日)
負債の部		
流動負債		
短期借入金	127,776	116,672
リース債務	10,177	10,210
未払金	52,287	45,887
未払費用	20,451	17,159
未払法人税等	31,885	4,347
預り金	9,812	9,751
流動負債合計	252,390	204,028
固定負債		
長期借入金	166,656	144,432
リース債務	20,031	17,466
退職給付引当金	7,570	7,955
固定負債合計	194,258	169,854
負債合計	446,649	373,883
純資産の部		
株主資本		
資本金	5,108,160	5,108,160
資本剰余金		
資本準備金	2,694,489	2,694,489
資本剰余金合計	2,694,489	2,694,489
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△5,057,978	△5,869,631
利益剰余金合計	△5,057,978	△5,869,631
自己株式	△142	△142
株主資本合計	2,744,529	1,932,875
新株予約権	7,680	7,680
純資産合計	2,752,209	1,940,555
負債純資産合計	3,198,858	2,314,439

（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　2024年１月１日 至　2024年３月31日）	当第１四半期累計期間 （自　2025年１月１日 至　2025年３月31日）
売上高	―	―
売上原価	―	―
売上総利益	―	―
販売費及び一般管理費	378,872	785,202
営業損失（△）	△378,872	△785,202
営業外収益		
受取利息	518	1,348
為替差益	18,668	―
その他	―	14
営業外収益合計	19,187	1,362
営業外費用		
支払利息	1,140	1,085
株式交付費	2,466	―
譲渡制限付株式報酬償却	―	4,034
為替差損	―	21,830
営業外費用合計	3,607	26,949
経常損失（△）	△363,292	△810,789
税引前四半期純損失（△）	△363,292	△810,789
法人税、住民税及び事業税	940	863
法人税等合計	940	863
四半期純損失（△）	△364,233	△811,653

（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。

（キャッシュ・フロー計算書に関する注記）

当第１四半期累計期間に係る四半期キャッシュ・フロー計算書は作成しておりません。なお、第１四半期累計期間に係る減価償却費は、次のとおりであります。

	前第１四半期累計期間 （自　2024年１月１日 至　2024年３月31日）	当第１四半期累計期間 （自　2025年１月１日 至　2025年３月31日）
減価償却費	－千円	10千円

（株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記）

該当事項はありません。

（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　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。

Ⅱ　当第１四半期累計期間(自　2025年１月１日　至　2025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　2024年１月１日 至　2024年３月31日）	当第１四半期累計期間 （自　2025年１月１日 至　2025年３月31日）
一時点で移転される財又はサービス	―	―
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	―	―
その他の収益	―	―
外部顧客への売上高	―	―

（１株当たり情報）

１株当たり四半期純損失金額及び算定上の基礎は、以下のとおりであります。

項目	前第１四半期累計期間 （自　2024年１月１日 至　2024年３月31日）	当第１四半期累計期間 （自　2025年１月１日 至　2025年３月31日）
１株当たり四半期純損失金額(△)	△18円24銭	△32円66銭
(算定上の基礎)		
四半期純損失金額(△)(千円)	△364,233	△811,653
普通株主に帰属しない金額(千円)	―	―
普通株式に係る四半期純損失金額(△)(千円)	△364,233	△811,653
期中平均株式数(株)	19,971,483	24,850,917
希薄化効果を有しないため、潜在株式調整後１株当たり四半期純利益金額の算定に含めなかった潜在株式で、前事業年度末から重要な変動があったものの概要	―	―

（注）　潜在株式調整後１株当たり四半期純利益金額については、潜在株式は存在するものの、１株当たり四半期純損失金額であるため記載しておりません。

（重要な後発事象）

該当事項はありません。

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、628,445千円となりました。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

2025年３月31日現在、研究開発部門は22名在籍しており、これは総従業員数の53.6%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、OBP-301の国内ビジネスを製薬会社モデルで展開することにより、従来のライセンス依存の単一の事業モデルから、製薬会社型とライセンス型の『ハイブリッド型事業モデル』へ移行していきます。当社は同方針の下に、研究開発並びにビジネス活動を進めました。

①腫瘍溶解ウイルスOBP-301に関する活動

当社は日本国内で厚生労働省よりOBP-301 に関する再生医療等製品の「先駆け審査指定」を受けて「放射線併用による食道がんPhase２臨床試験（OBP101JP試験）」を完了させました。本臨床試験結果は、2024年10月に開催された第62回日本癌治療学会学術集会（福岡）において発表されました。2025年３月には、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、「PMDA」）とOBP-301の承認申請に向けた先駆け総合評価相談を開始しました。今後、市販後臨床試験計画も含めた内容の審査を受けた後に、2025年12月期の承認申請を予定しています。

国内ビジネス面では、2024年２月には富士フイルム富山化学とOBP-301の販売提携契約を締結し、製造元のヘノジェン社から医療機関に至るサプライチェーンを構築するとともに、上市後の販売体制に関する各種協議を進めています。また、2025年４月には、再生医療等製品製造販売業者の業許可を取得しました。さらに、2025年３月に、腫瘍溶解アデノウイルスの内視鏡投与に関する特許査定を日本で得ました。同特許は、OBP-301に限らずOBP-702や他社の腫瘍溶解アデノウイルスも対象であり、2040年５月まで特許が存続します。

一方、米国ではOBP-301とペムブロリズマブの共同開発体制を構築するために、当社とコーネル大学、並びにコーネル大学とMSD社の間で、2023年12月にそれぞれ医師主導治験契約を締結しました。その結果、当社とMSD社は胃がんの２次治療患者を対象としたPhase2医師主導治験の研究開発費を折半することになっています。また、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進められた放射線化学療法併用食道がんPhase１医師主導治験は、2025年１月に開催されたASCO- GI（米国臨床腫瘍学会　消化器がんシンポジウム）において、評価対象の13例全例で投与箇所の腫瘍の消失が確認されたことが発表されました。

海外でのビジネス展開に関しては、2024年12月には台湾のMedigen社と台湾での販売権に関するライセンス契約を締結しました。Medigen 社により台湾で上市された後には、当社は Medigen 社へ OBP-301 の最終製品を有償で供給し、併せて Medigen 社から販売額に応じたロイヤリティ収入を得ることになります。

現在、OBP-301は、承認申請準備中や組入れが終了した臨床試験も含めて、以下の３つの臨床試験が国内外で進められました。

i）放射線併用食道がんPhase２臨床試験(OBP101JP試験)
ii）抗PD-1抗体併用２次治療胃がん・胃食道接合部がんPhase2医師主導治験
iii）放射線化学療法併用食道がんPhase１医師主導治験

i）放射線併用食道がんPhase２臨床試験(OBP101JP試験)

本試験は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、2024年９月に治験終了届をPMDAに提出しました。本試験の結果に関しては、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、生物統計専門家、並びに医学専門家との協議により、次項に示したように評価されました。これらの結果に基づき、当社は国内でOBP-301の製造販売承認申請を行うために

PMDAと折衝を重ね、これまでの臨床試験のみならず市販後の臨床試験実施計画も含めて承認要件として評価することで、2025年３月に先駆け総合評価相談を開始しました。今後、市販後臨床試験計画を含めた審査を受け、2025年12月期に承認申請を行う計画です。

また、OBP-301のOBP101JP試験の結果は、2024年10月に開催された第62回日本癌治療学会学術集会（福岡）において発表されました。

i-a）研究開発活動

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。

本試験における最長追跡期間である18ヶ月時点の局所奏効率は63.9％となり、そのうち局所完全奏功率は50.0％となりました。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、局所奏功例におけるがん関連生存率は90％となりました。また、食道がん患者のQoL（Quality of Life）評価指標である嚥下障害は、有症状患者の71％に改善が認められました。これらの結果から、OBP-301による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ました。

安全性

OBP-301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、これらは軽度ないしは中等度、又は一過性の変化でした。

i-b）ビジネス活動

OBP-301の安定供給のために重要なサプライチェーンは、「ベルギーで製造して富士フイルム富山化学へ出荷」の前工程と、「富士フイルム富山化学による医療機関への販売」の後工程に分かれます。また、OBP-301の販売には、製造販売承認以外に当社が再生医療等製品製造販売業者の許可を得る必要があり、2025年４月に再生医療等製品製造販売業者の業許可を取得しました。

ベルギーで製造して富士フイルム富山化学へ出荷

国内承認取得後にOBP-301を円滑に供給するために、ヘノジェン社で商用製品用の原薬製造を2024年11月に開始し、十分な収量を得ました。今後、原薬の品質試験を行った上で、2025年12月期に凝集体を発生させない新処方による原薬を各バイアルへ充填して製剤化を完了させます。包装・保管及び輸送の物流業務を委託している三井倉庫ホールディングス株式会社は、再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準である GCTP（Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice）に適合した体制を整備しました。ヘノジェン社から出荷された製品は、輸入後に日本国内の三井倉庫で保管されます。また、輸入後にOBP-301の出荷試験を委託するユーロフィン分析科学研究所（京都市）では、OBP-301の出荷試験の準備が進められています。製造販売業者となる当社が実施する出荷判定をクリアしたOBP-301は、販売提携先の富士フイルム富山化学へ出荷されます。

富士フイルム富山化学による医療機関への販売

当社は、出荷可能と判定したOBP-301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。OBP-301は出荷判定後に当社から富士フイルム富山化学へ出荷され、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医療現場に提供されます。2024年９月には、富士フイルム富山化学と安全性情報に関する契約を締結しています。今後も、上市後のOBP-301の円滑な供給のために、サプライチェーンの整備など各種協議を行っています。

再生医療等製品製造販売業

当社は、日本国内へのOBP-301の出荷に責任を負う製造販売業者に位置付けられます。従って、当社は東京都から「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、2025年４月に再生医療等製品製造販売業者の業許可を取得しました。今後も、GQP及びGVPに適合した体制をさらに強化していきます。

ii）抗PD-1抗体併用２次治療胃がん・胃食道接合部がんPhase2医師主導治験

上記ii)の「抗PD-1抗体併用２次治療胃がん・胃食道接合部がんPhase２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。

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OBP-301と抗PD-1抗体ペムブロリズマブを併用します。現在、当社とMSD社で費用を折半して投与が進んでいます。MSD社のペムブロリズマブは2023年に全世界で250億ドル以上売り上げるなど、抗PD-1/PD-L1抗体は大手製薬会社の経営に大きな影響を与えています。抗PD-1/PD-L1抗体を販売する大手製薬会社にとって、このOBP-301を併用した胃がんの２次治療が確立された場合には、抗PD-1/PD-L1抗体の処方機会が拡大する可能性があります。当社は本治験の結果が、OBP-301の海外でのライセンス活動に貢献するものと期待しています。

iii）放射線化学療法併用食道がんPhase１医師主導治験

上記iii)の「放射線化学療法併用食道がんPhase１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、OBP-301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、15例の患者を登録しました。2025年１月に開催されたASCO- GI（米国臨床腫瘍学会　消化器がんシンポジウム）で、有効性の評価対象となる13例全例で、投与箇所での腫瘍の消失が内視鏡所見や病理生検などで確認されたことが発表されました。OBP-301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OBP-301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Phase２b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トランスポゾン社との間で、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月にトランスポゾン社は第１回マイルストーンを達成しています。

トランスポゾン社は、「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Phase２臨床試験を完了しました。また、アイカルディ・ゴーティエ症候群（AGS： Aicardi-Goutieres Syndrome）を対象にした欧州での単群のPhase2臨床試験の組入れを進めました。さらに、トランスポゾン社は、OBP-601が炎症性

神経損傷を抑制したバイオマーカーの結果などから、アルツハイマー病を対象とした新たな臨床試験を開始する準備を進めています。

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トランスポゾン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、トランスポゾン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）することが可能となっています。サブライセンスが成功した場合には、トランスポゾン社がサブライセンス先から得た収入の一定割合が当社へ支払われます。

なお、トランスポゾン社はOBP-601の開発を目的に設立された企業であり、当社は、トランスポゾン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。

i）PSP Phase2臨床試験

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。トランスポゾン社が、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 PSP患者42例がこの試験に組み込まれました。

② 二重盲検試験として実施され、1日100mg投与群、200mg投与群、400mg投与群及びプラセボ投与群の4群比較を行いました。6ヶ月間の二重盲検下での投与の後、全症例がOBP-601の400mg投与に切り替えられてさらに6ヶ月間フォローアップされました。

③ OBP-601はPSP患者に対して安全に投与できることが示され、重篤な副作用としては意識消失（1例、100mg群）が報告されました。

④ 神経組織の炎症を示すNfL（神経フィラメント軽鎖）の脊髄液中の濃度を、持続的に低下させました。

⑤ NfLと同様に、炎症性バイオマーカーである脊髄液中のIL-6（インターロイキン6）も同様の変化を示しました。

⑥ 日常動作スケール（PSPRS）ではOBP-601は症状の悪化を遅らせることが示唆されました。

⑦ 以上により、OBP-601は脳内のLINE-1を抑制することによって、炎症による脳神経損傷を抑制して、PSPの病態進展を抑制することが示唆されました。

現在トランスポゾン社は、第三者へのライセンスなどのビジネス活動と並行してPSPのPhase3臨床試験の開始に向けたEnd of Phase2 meetingを実施するなど、米国食品医薬品局（FDA）とPSPを対象にしたPhase3臨床試験の準備を具体的に進めています。なお、FDAはPSPに対して、2024年５月にOBP-601を迅速承認審査制度であるファストトラック品目に指定しています。

ii）C9-ALS/FTD Phase2臨床試験

C9ALS/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、本試験を終了しました。現在までに試験を中止させるような安全性上の問題は報告されていません。トランスポゾン社は、2024年10月のNEALS（Northeast Amyotrophic Lateral Sclerosis Consortium） Meeting 2024 年次総会や2024年12月のAnnual ALS Research SymposiumなどでALSに対するOBP-601の開発状況を発表しています。なお、本治験のALSに関する48週までの主な最終解析結果は下記のとおりです。

① OBP-601投与群では、脊髄液中のNfL（神経フィラメント軽鎖）、NfH（同重鎖）、IL-6（インターロイキン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ました。

② ALS機能評価スケール（ALSFRS-R）では、病勢進行の抑制効果が示唆されました。

③ 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の低下率をプラセボ投与群と比較して約50%減少させました。

④ C9-ALS/FTD及びPSP（進行性核上性麻痺）におけるPhase2臨床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値の低下を示しました。

トランスポゾン社は、2025年１月にFDAとALSに関するEnd of Phase2 meetingを実施しました。トランスポゾン社は、OBP-601をALSを対象としたPhase2/3臨床試験に進める計画です。

iii）アルツハイマー病Phase２臨床試験

現在トランスポゾン社は、PSPとALSのPhase２臨床試験の結果に基づいた以下の理由により、OBP-601をアルツハイマー病で展開するためにPhase２臨床試験の準備を進めています。

① OBP-601は、タウタンパク質の脳内蓄積に関連した病態であるPSPや、TDP-43タンパク質に関連した病態であるALSに対して有効性を示した。

② アルツハイマー病はタウタンパク質およびTDP-43タンパク質に関連した病態であることから、トランスポゾン社は、OBP-601が同様に炎症性神経変性を抑制し有効性を示す可能性があると考えています。

当社は、トランスポゾン社の上記の見解を支持しています。

iv）AGS Phase2臨床試験

トランスポゾン社は、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Phase2臨床試験の投与を欧州で開始しました。現在までに、本試験の中止を要するような安全性上の問題は報告されていませんが、トランスポゾン社はOBP-601の開発戦略を見直し、PSPやALSの許可取り試験やアルツハイマー病のPhase２試験の開始を優先するため、AGSの優先順位を引き下げています。

③次世代腫瘍溶解ウイルス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、OBP-301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。2025年３月に採択された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、すい臓がんを対象とした医師主導治験の準備を進めています。既に、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。

OBP-301の食道がんでの開発の経緯と同様に、岡山大学がOBP-702の臨床における安全性や用法を検討した後に、当社が臨床開発を引き継ぎ、OBP-301との棲み分けを考慮しながら開発を進めていく方針です。

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、OBP-301の承認申請へ経営リソースを集中させるために、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ていく考えです。

⑤がん検査薬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、OBP-401によって蛍光発光させた血液中で生きているがん細胞の画像学習を進め、AIによる自動判定を目指しています。しかし、画像学習に必要な多くの画像を取得することに、当初計画と比較して時間を要したため開発進捗は遅延しています。なお、OBP-301の承認申請へ経営リソースを集中させるため、優先順位を引き下げています。

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Phase１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。

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。また、「緑内障治療後の濾過胞線維化抑制」や「加齢黄斑変性症」に関するOBP-801の用途発明が、2024年７月に日本国内で特許査定を受けました。なお、OBP-301の承認申請へ経営リソースを集中させるため、優先順位を引き下げています。

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
OBP-301 (suratadenoturev)	食道がん	放射線療法	日本	Phase２終了 （先駆け総合評価相談）
		放射線化学療法	米国	Phase１
		抗PD-1抗体ペムブロリズマブ	日本	Phase１ （終了）
	胃がん・ 胃食道接合部がん	抗PD-1抗体ペムブロリズマブ （３次治療）	米国	Phase２ （終了）
		抗PD-1抗体ペムブロリズマブ （２次治療）	米国	Phase２
	肝細胞がん	単独療法	韓国・台湾	Phase１ （終了）
OBP-601 (censavudine)	進行性核上性麻痺(PSP)	単独療法 (二重盲検)	米国	Phase２ (Phase3準備中)
	筋萎縮性側索硬化症(ALS)	単独療法 (二重盲検)	米国・欧州	Phase２ (Phase2/3準備中)
	アルツハイマー病	未定	米国	Phase２準備中
	アイカルディ・ゴーティエ症候群（AGS）	単独療法	欧州	Phase２
OBP-702	すい臓がん	未定	日本	前臨床 (Phase１準備中)
OBP-2011	ウイルス感染症	未定	日本	前臨床
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