



2025 年 5 月 30 日

各 位

会 社 名 オンコリスバイオフーマ株式会社
代 表 者 名 代表取締役社長 浦 田 泰 生
(コード番号：4588)
問 合 せ 先 執 行 役 員 秦 耕 平
(Tel. 03-5472-1578)

LINE-1 阻害剤 OBP-601 (censavudine) の Phase 2/3 HEALEY ALS Platform Trial 採択に関するお知らせ

当社が Transposon Therapeutics, Inc. (以下「トランスポゾン社」) とライセンス契約を締結し、同社の全額費用負担で開発が進行している OBP-601 が、Phase 2/3 HEALEY ALS Platform Trial に採択されましたので、お知らせいたします。

トランスポゾン社は、2024 年に C9orf72 関連 ALS 患者を対象とした Phase2 臨床試験の結果として、『OBP-601 は肺機能低下を 50%抑制し、病気の進行を遅らせるとともに、神経変性や炎症に関わるバイオマーカーを低下させる効果を示した。その結果、TDP-43 蛋白異常に関連する病気である ALS に対する有望な治療薬候補であることが示唆された』と報告しています。このような有望な成績が評価され、HEALEY ALS Platform Trial に採択されました。

HEALEY ALS Platform Trial は、ALS など運動神経に異常がある病気に関する研究と臨床試験を実施する全世界 150 以上の施設で構成された国際非営利組織 Northeast ALS Consortium (NEALS) の協力によって進められます。ここに採択されたことで、Phase 2/3 ALS 臨床試験の研究開発コストが低減され、患者登録の促進による臨床試験の期間短縮などの効果が期待されます。この臨床試験は、2025 年 12 月期第 4 四半期に開始される計画です。

本件による現時点での 2025 年 12 月期の当社業績への直接の影響はありませんが、当社はトランスポゾン社の HEALEY ALS Platform Trial を活用した Phase2/3 臨床試験の推進に賛同しています。

注：HEALEY ALS Platform Trial について

HEALEY ALS Platform Trial は、米マサチューセッツ総合病院の筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 専門の研究開発センター Sean M. Healey & AMG Center (Healey Center) などによって運営されています。同センターは、世界的な資産運用会社である Affiliated Managers Group (AMG) 社などが資金を拠出して、2018 年 11 月に設立されました。センター名を冠する ショーン・マイケル・ヒーリー氏は AMG 社の元取締役会長であり、2018 年に ALS 患者と診断されました。HEALEY ALS Platform Trial は、ALS における初めてのプラットフォーム試験であり、安全で効果的な治療法が見つかるまで複数の治験薬を並行して試験する多施設共同、二重盲検、プラセボ対照のプラットフォーム試験です。

以 上