



2024年10月11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)

2024 Annual NEALS Meeting における OBP-601 の C9-ALS (筋萎縮性側索硬化症) Phase2a 試験に関する結果報告のお知らせ

当社が Transposon Therapeutics, Inc. (以下、「Transposon 社」) と全世界のライセンス契約を締結している LINE-1 阻害剤 OBP-601 (censavudine, TPN-101) に関し、同社が C9-ALS (C9orf72 変異型 筋萎縮性側索硬化症) 及び C9-FTD (同 前頭側頭型認知症) を対象とした Phase 2 a 臨床試験 (以下、「本試験」) の結果を、[2024 Annual Northeastern Amyotrophic Lateral Sclerosis Consortium \(NEALS\) Meeting](#) (開催地 : フロリダ、期間 : 2024 年 10 月 21 日 (月) ~10 月 24 日 (木)) で口頭及びポスター発表を行いますので、お知らせいたします。

【演題】

A Phase2a Study of TPN-101, A Nucleoside Reverse Transcriptase Inhibitor, in Patients with C9ORF72-Related ALS/FTD

(訳)

C9ORF72-Related ALS/FTD 患者を対象としたヌクレオシド系逆転写酵素阻害剤 TPN-101 の Phase 2 a 試験

【演者】

Andrew Satlin, MD (Transposon 社)

【発表日時】

2024 年 10 月 22 日 (火) 11:15 (米国東部時間)

【Andrew Satlin, M.D., Chief Medical Officer のコメント】

“Given the effects of TPN-101 on key biomarkers of neurodegeneration and neuroinflammation, including NfL and IL-6, and clinical outcome measures of disease progression and respiratory function in patients with C9orf72-related ALS, we are very pleased these data were accepted for presentation at NEALS. Based on these promising results, we are advancing TPN-101 into a Phase 3 registrational study for the treatment of C9orf72-related ALS, while also continuing to develop TPN-101 for other neurodegenerative diseases. ”

(参考訳)

「TPN-101 は、神経変性及び神経炎症に関する主要なバイオマーカーであるニューロフィラメント軽鎖 (NfL) やインターロイキン 6 (IL-6) などに対して低下効果を示しました。また、ALS の臨床的な評価項目である改訂版 ALS 機能評価尺度 (ALSFRS-R) や肺活量にも改善効果を示しました。これらの結果が NEALS での発表に採択されたことを大変嬉しく思います。

これらの有望な結果に基づいて、C9orf72 変異型 ALS 治療の新薬承認申請に向けた第3相登録試験を進めるとともに、他の神経変性疾患に対する開発も進めていきます。」

本件による2024年12月期の当社業績への影響はありませんが、NEALSは150以上の研究センターを擁する世界最大のALSコンソーシアムであり、OBP-601の価値を国際的に認知頂くための非常に重要な機会であると認識しています。当社は、OBP-601のさらなるプレゼンスの向上に期待しています。

以上

C9-ALS/FTDを対象としたPhase 2 a 臨床試験について

C9-ALS/FTDを対象としたPhase 2 a 臨床試験は、多施設、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の2群試験です。治験参加者(n=42)は、OBP-601 (TPN-101) 400 mg またはプラセボを1日1回投与されるよう3対2の比率で無作為に割り付けられました。本試験には6週間のスクリーニング期間、24週間の二重盲検期間、24週間のオープンラベル期間、及び治療後4週間のフォローアップ期間が含まれていました。試験の詳細は ClinicalTrials.gov で確認できます。

OBP-601 (TPN-101) について

OBP-601 (TPN-101) は、LINE-1 逆転写酵素を特異的に阻害し、LINE-1 の複製を抑制します。LINE-1 は、ヒトのゲノム内で複製され、移動する能力を持つレトロトランスポゾンの一類です。このプロセスが制御不能になることにより、LINE-1 逆転写酵素が過剰な LINE-1 cDNA の生成を引き起こし、神経変性、神経炎症、加齢関連疾患の病理に寄与する先天的免疫応答を引き起こします。

ALS と FTD について

ALS は、進行性の筋力低下が主体となり、話すこと、食べること、動くこと、呼吸すること等に関する機能低下を特徴とする神経変性疾患です。また、FTD は、行動障害や人格変化、感情鈍麻、歩行障害などを主症状とする神経変性疾患です。C9orf72 変異は、両疾患の10~15%を占めており、ALS 患者の平均生存期間は2~3年、FTD 患者の平均生存期間は約9年とされています。