



*Powering Future Oncotherapy*

—— Oncolys BioPharma

## 事業計画及び成長可能性に関する事項

オンコリスバイオフーマ株式会社（証券コード：4588）

2025年3月25日

本資料は、オンコリスバイオフーマ株式会社（以下、当社という）を御理解頂くために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。

本資料に掲載されている将来の見通し、その他今後の予測・戦略などに関する情報は、本資料の作成時点において、当社が合理的に入手可能な情報に基づき、通常予測し得る範囲で判断したものであり、多分に不確定な要素を含んでおります。実際の業績等は様々な要因の変化等により、本資料記載の見通しとは異なる結果を生じる可能性があります。

将来の展望に関する表明は、様々なリスクや不確かさを内在しています。

本資料は、投資家の皆様がいかなる目的に利用される場合においても、ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものです。

次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は2026年3月を予定しています。

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

オンコリスバイオフーマは「ウイルス学に立脚した創薬」を事業コンセプトとしている創薬バイオ企業です。  
「オンコリスなしでは医療現場が、ひいては患者様が困る」  
そういう存在感ある創薬でいち早く医療に貢献することを目指しています。

会社名	オンコリスバイオフーマ株式会社（証券コード：4588）
所在地	東京都港区虎ノ門4-1-28 虎ノ門タワーズオフィス
設立	2004年3月18日
取引市場	東京証券取引所グロース市場（2013年12月6日マザーズ市場上場）
代表	代表取締役 浦田 泰生
従業員数	40名（2024年12月31日時点）
事業内容	腫瘍殺傷ウイルスの研究・開発・製造・販売・輸出入 医薬品及び癌検査薬の研究・開発・製造・販売・輸出入
事業所	神戸リサーチラボ
子会社	Oncolys USA Inc. OPA Therapeutics Inc.



東京本社



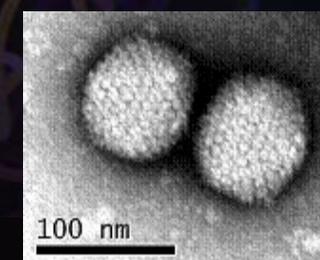
神戸リサーチラボ



Oncolys USA Inc. (New Jersey)

*“Powering Future Oncotherapy”*

“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”



# ガバナンス体制



## 取締役



**浦田 泰生**

代表取締役社長・創業者

小野薬品工業で臨床プロジェクトリーダーを経験後、日本たばこ産業で研究開発企画部長として、抗HIV薬Vileadのプロジェクトリーダーを担当し、厚生労働省から許可取得。2004年にオンコリスバイオファーマを設立。



**Oncolys USA Inc.**

Talia Biran, M.Sc

複数の外資系製薬会社にて臨床開発部長を経験。Oncolys USA Inc. 社長に就任。現在は、ビジネス活動並びに研究開発活動を担っている。



**櫻原 康成 (MBA)**

常務取締役

日本チバガイギー、参天製薬を経験。2005年UMNファーマ代表取締役社長。国内外複数企業にて取締役を経験。



**高藤 泰**

社外取締役

日本専売公社（現日本たばこ産業）では、2003年より、たばこ事業本部中国事業部長に就任。アプライドバイオシステムズジャパン、GNIの取締役を経て、当社社外取締役に就任。



**飯野 直子**

社外取締役

シンバイオ製薬社外取締役、クオリプス代表取締役など複数のヘルスケア企業でマネジメントを経験し、当社社外取締役に就任。

## 執行役員

(五十音順)



**久保田 俊之\***

生産調整・メディカル  
アフェアーズ担当執行役員  
兼 生産調整本部長



**田口 めぐみ**

人事担当執行役員 兼  
人事戦略部長



**秦 耕平**

事業企画担当執行役員  
兼 事業企画部長



**吹野 晃一 (医師)**

メディカルサイエンス  
担当執行役員 兼  
メディカルサイエンス室長



**米尾 哲治 (公認会計士)**

経理・財務担当執行役員  
兼 経理・財務部長

## 監査役会\*\*

**久世 慎一**

常勤監査役

アイ・エス・ピーに入社。  
内部統制推進部部長、監査室室長  
や取締役常勤監査等委員を歴任。

**柳澤 崇仁 (弁護士)**

社外監査役

2001年 弁護士登録  
(第一東京弁護士会)  
現在、奥・片山・佐藤法律事務所  
パートナー。

**永末 真也 (公認会計士)**

社外監査役

1996年 公認会計士登録  
サマンサタバサジャパンリ  
ミテッド常勤監査役などを  
歴任。

\*2025年4月1日就任。 \*\*2025年3月27日開催の定時株主総会で、監査役選任議案が可決されることを前提にしています。

# マネジメントのスキルセット



氏名	役職名	担当	性別	企業経営	研究開発	国際性	法務 リスク管理 品質管理 人事	M&A 提携 事業推進	財務 経理
浦田 泰生	代表取締役社長	研究開発/CMC	男性	●	●	●	●	●	
樫原 康成	常務取締役	事業開発/リスク管理	男性		●	●	●	●	
斎藤 泰	社外取締役		男性	●		●	●	●	●
飯野 直子	社外取締役		女性	●	●	●			
久保田 俊之*	執行役員	生産調整・ メディカルアフェアーズ	男性		●	●		●	
田口 めぐみ	執行役員	人事戦略	女性				●		
秦 耕平	執行役員	事業企画	男性					●	●
吹野 晃一 (医師)	執行役員	メディカル・サイエンス	男性		●	●			
米尾 哲治	執行役員	経理財務	男性						●
Talia Biran, M.Sc	Oncolys USA Inc. 社長	子会社経営	女性		●	●			
久世 慎一**	常勤監査役		男性				●		
柳澤 崇仁**	社外監査役		男性				●		
永末 真也**	社外監査役		男性				●		●

\*2025年4月1日就任。 \*\*2025年3月27日開催の定時株主総会で、監査役選任議案が可決されることを前提にしています。

がんのウイルス療法



**OBP-301**

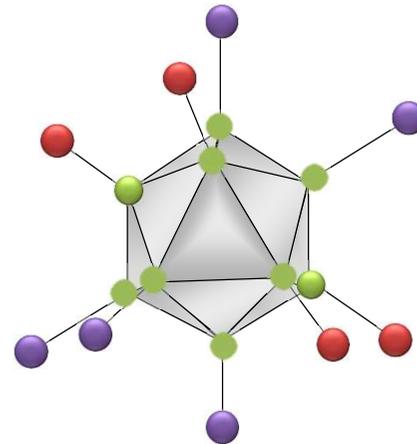
腫瘍溶解ウイルス



**OBP-702**

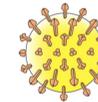
次世代腫瘍溶解ウイルス

ウイルスの増殖能力を利用して  
がんを殺す「がんのウイルス療法」



ウイルス創薬

重症ウイルス感染症治療薬



**OBP-2011**

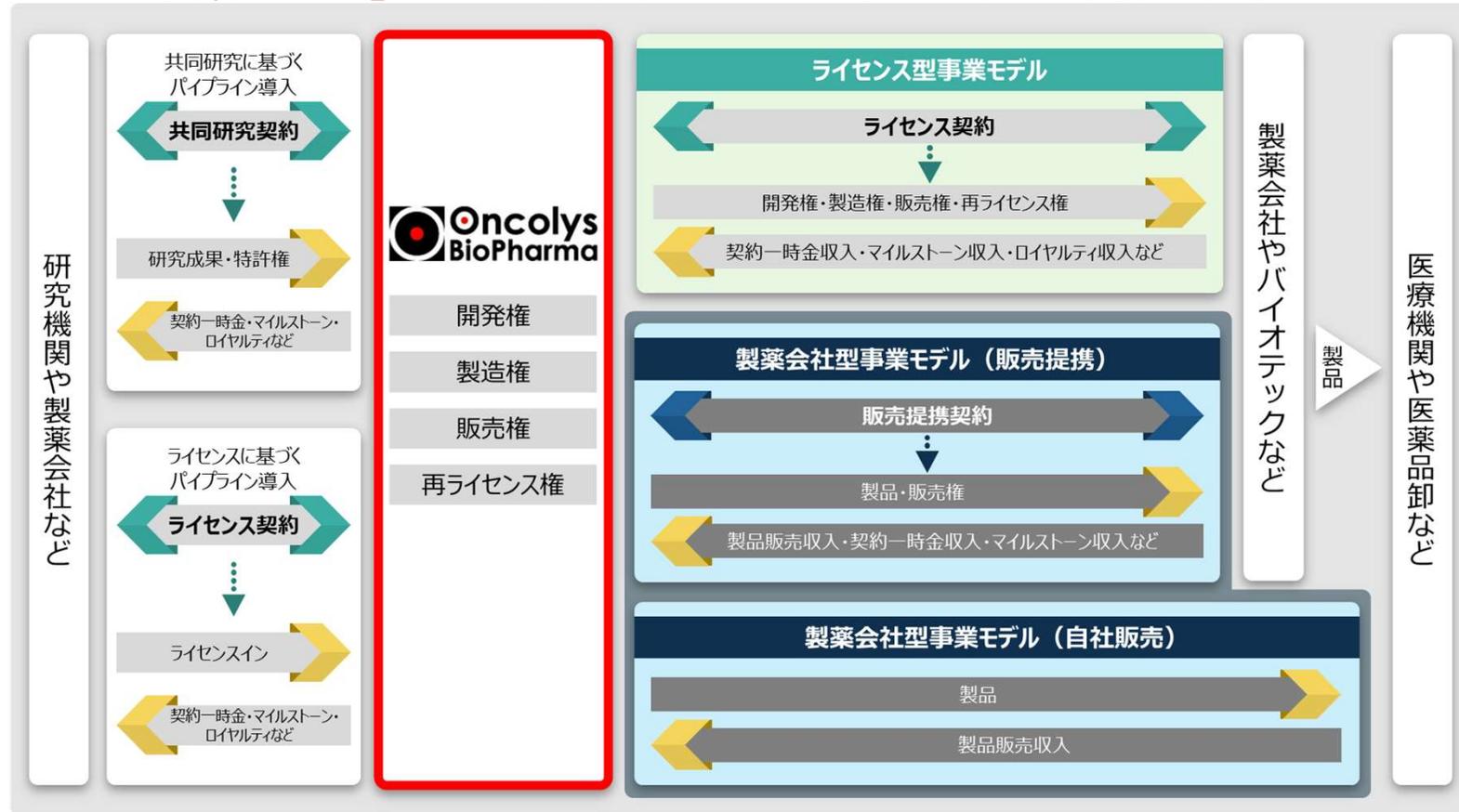


**OBP-601**

HIV治療薬  
→神経変性疾患治療薬

ウイルスの増殖を抑制して治療する  
「重症ウイルス感染症治療薬」

「医薬品を製造販売業者として供給し持続的な収入が得られる**製薬会社型事業モデル**」と「**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を展開する。



開発権

製造権

販売権

再ライセンス権

**特長**

- ・全ての権利を自社が保有
- ・事業の舵取りを自社で担える

OBP-601

ライセンス型事業モデル

**TRANSPONON**

収入： 契約一時金+マイルストーン+ロイヤリティ

特長： ・**全ての権利がライセンス**され、各権利のリスクをライセンス先が負います。  
 ・ライセンス先の戦略に依存します。（ライセンス返還リスク）

開発権

製造権

販売権

再ライセンス権

OBP-301

製薬会社型事業モデル

**富士フイルム富山化学（株）**

収入： 製品販売収入  
 ロイヤリティ < 製品販売の粗利率

特長： ・開発、製造、販売を自社で担うリスクを負います。  
 ・事業の舵取りを自社で担うことができます。

開発権

製造権

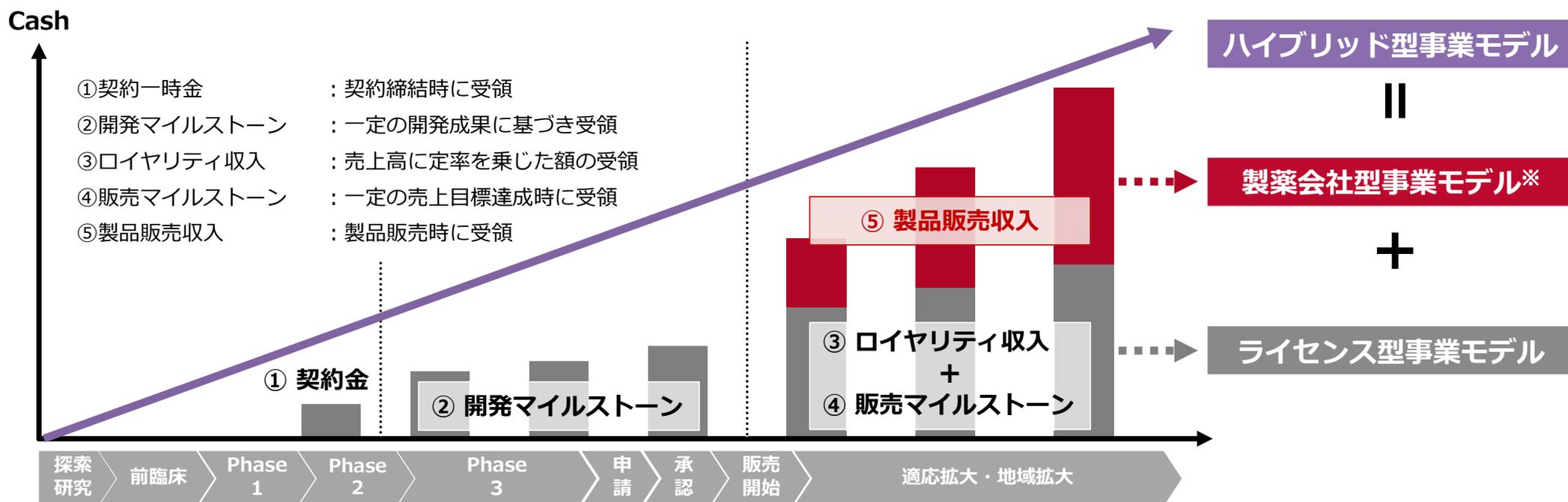
販売権 ※

再ライセンス権

※ 本来、製薬会社型事業モデルは全ての権利を当社が保有します。しかし、OBP-301の国内販売体制を当社独自で構築するには多大なコストがかかるため、富士フイルム富山化学へ国内の**販売権をライセンス**しています。

# ビジネスモデル：収入イメージ

1. バイオベンチャーは、製品的価値の初期評価（POC：Proof of Concept）に基づいて製薬企業等とのライセンス契約を締結し、その対価として契約金やマイルストーン、販売ロイヤリティを受け取る“ライセンス型事業モデル”が基本です。
2. 当社は、OBP-301において国内承認取得後に販売提携先から、主にOBP-301の製品販売収入を得る“製薬会社型事業モデル”を展開し、“ライセンス型事業モデル”とのハイブリッド型事業モデルを推進していきます。



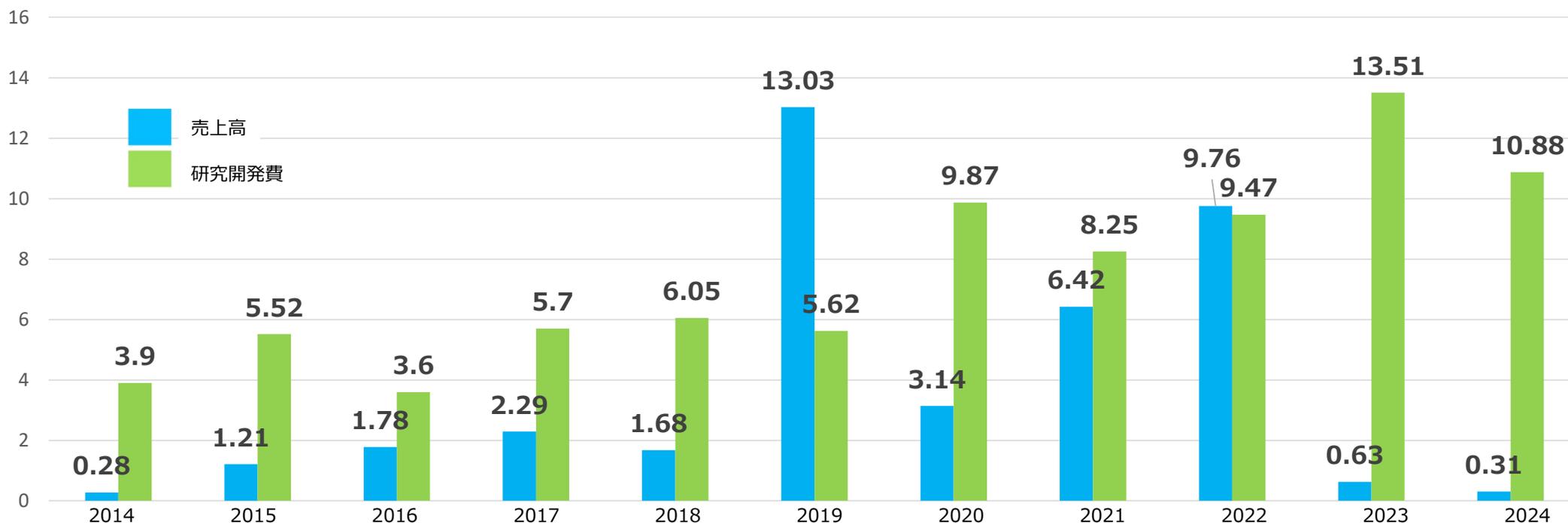
※ 製薬会社型事業モデルでは、製品販売収入に加えて、開発/販売マイルストーンも受領する

# 経営指標（～2024年実績）



1. 投資資金の回収までに長い時間を要しますが、パイプラインの進捗がビジネスの肝要です。
2. 製品の上市やライセンスを実現するために、十分な研究開発費を充当し続ける必要があります。
3. パイプライン進捗は『研究開発費』、ビジネス成果は『売上高』に現れるため、これらを経営指標に位置付けています。
4. 現時点では、売上高以上の研究開発費を投下することで、将来の大きな成果を目指しています。

単位：億円



# 2024年12月期の業績結果、2025年12月期の業績見通し



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。

## 2025年12月期の業績見通し

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。

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

# パイプラインの状況



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			FUJIFILM 富士フイルム 富山化学株式会社 販売提携	先駆け総合評価 相談を開始	
		オーファン指定					
	胃がん						
	肝細胞がん						
OBP-601	PSP※1	Fast Track指定			Phase3準備中 Phase2/3準備中	TRANSPONON 導出済	
	C9-ALS※2/FTD※3						
	アルツハイマー病	準備中					
	AGS※4						
OBP-702	すい臓がん	準備中					
OBP-2011	ウイルス感染症						
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. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

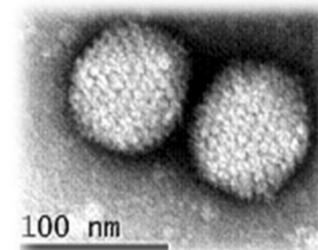
## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

# OBP-301の概要

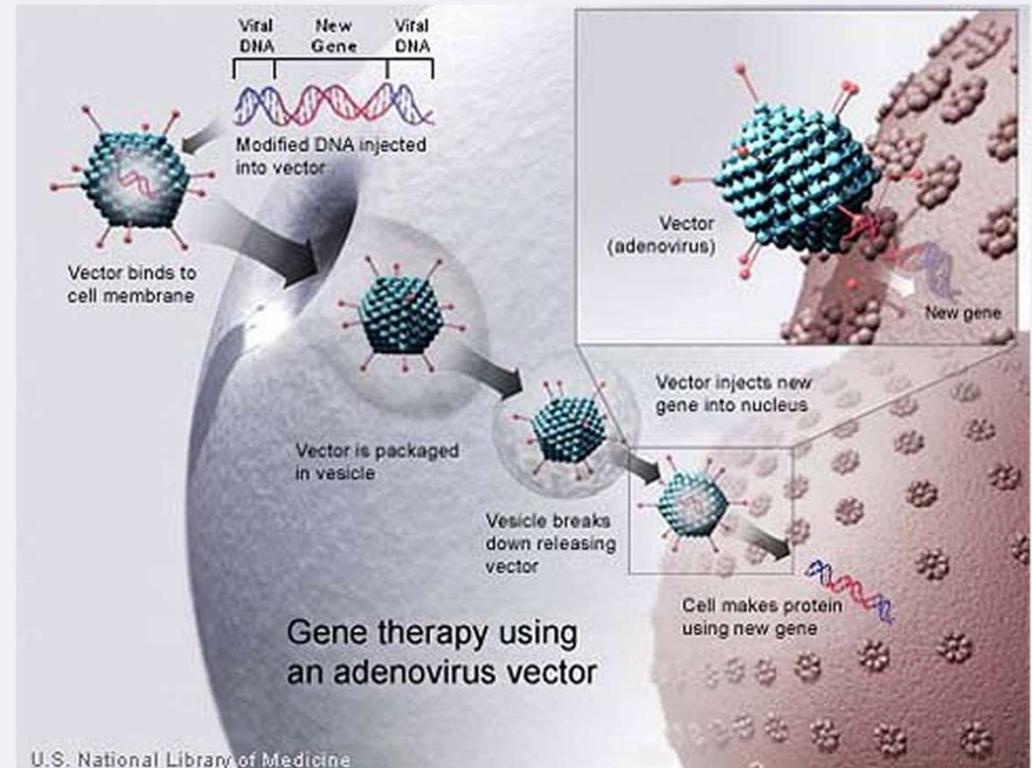


- 1 OBP-301は、アデノウイルスをベースとした腫瘍溶解ウイルスです。
- 2 “がんを切らずに治療する” ことにより、がん治療の歴史の新たな選択肢となることを目指します。
- 3 局所治療効果は、がん治療のアンメットメディカルニーズを充足させる可能性があります。
- 4 食道がん国内Phase2臨床試験で58.3%の局所奏効率が得られています。
- 5 “放射線治療との相乗効果” や “遠隔がんへの効果” などユニークな効果が示唆されています。
- 6 これまで、重篤な副作用は認められていません。
- 7 Phase 2 臨床試験データで、先駆け総合評価相談を開始しました。
- 8 承認により世界初の食道がん局所治療薬になる可能性があります。
- 9 今後、他臓器のがんも含め、効能追加をしてゆく予定です。



ウイルスが、がん細胞でのみ増殖することを利用して、がん細胞を死滅させる治療法です。

- 野生型若しくは遺伝子改変ウイルスを利用した遺伝子治療<sup>※1</sup>の一つです。
- アデノウイルス、ヘルペスウイルス、コクサッキーウイルス、ワクシニアウイルス等のウイルスを用いた開発が行われています。
- がん細胞内でのみ選択的に増殖し、がん細胞を溶解します。
- 腫瘍溶解ウイルスによるがん細胞の破壊は、がん抗原の放出を引き起こし、がん免疫を活性化すると考えられています。
- 免疫チェックポイント阻害薬（CPI）との併用が、CPI単独の奏効率を上回るデータ<sup>※2</sup>が存在します。

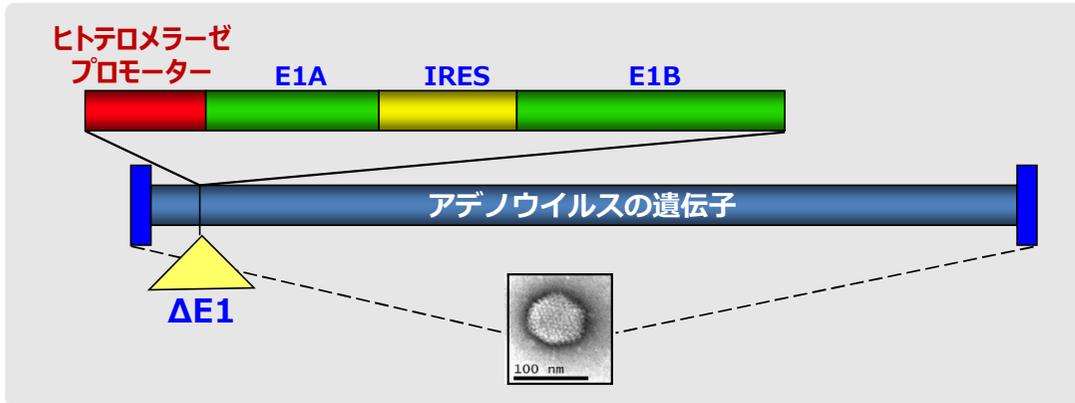


※1 遺伝子治療：疾病の治療を目的として遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること（文部科学省・厚生労働省「遺伝子治療臨床研究に関する指針」より引用）

※2 Cell. 2017 Sep 7; 170(6): 1109-1119.e10. 「Oncolytic Virotherapy Promotes Intratumoral T Cell Infiltration and Improves Anti-PD-1 Immunotherapy」

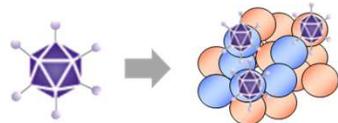
# がん細胞特異的な増殖 (テロメラーゼプロモーター)

## ● OBP-301の構造

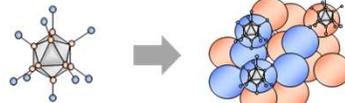


1. テロメラーゼは主にがん細胞で特異的に発現し、がん細胞がその高い増殖能力を維持するメカニズムの1つです。
2. OBP-301は、遺伝子配列の先端にヒトのテロメラーゼ逆転写酵素のプロモーター配列を導入しています。
3. テロメラーゼ活性の高いがん細胞特異的に増殖し、がん細胞を溶解させるメカニズムです。

## ● テロメライシン



## ● 従来のアデノウイルス



## Point

がん細胞だけでウイルスが増殖

正常な細胞でもウイルスが増殖

● 正常細胞 ● がん細胞

がん細胞のみを破壊

正常な細胞も破壊

# 腫瘍溶解ウイルスの競合状況 ~2025年3月時点~



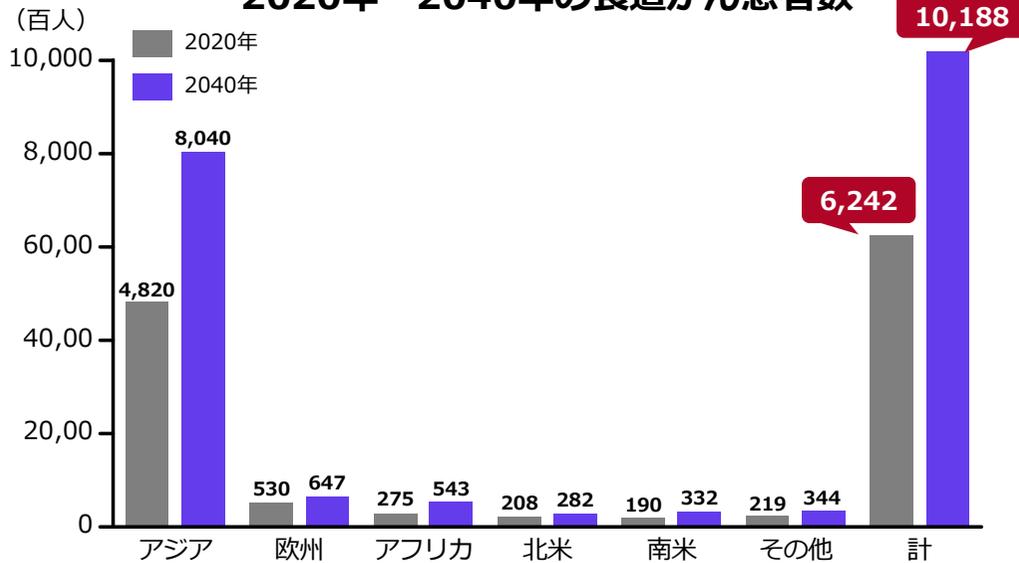
1. 腫瘍溶解ウイルスは、2025年3月時点で先進国で2剤が承認されています。
2. アデノウイルス由来の腫瘍溶解ウイルスは、現在先進国で上市されていません、
3. 腫瘍溶解アデノウイルス製剤は、がん治療における新たなモダリティとして期待されています。

ウイルス	製品名・製造/販売会社	承認年/臨床試験Phase	適応	薬価※1
アデノウイルス	OBP-301 オンコリスバイオファーマ	先駆け総合評価相談を開始 先駆け審査指定制度対象品目	食道がん	—
	CG0070 CG Oncology, Inc. (米国) / キッセイ薬品工業	Phase3 ブレイクスルーセラピー指定	BCG療法無効のCISを伴う 筋層非浸潤性膀胱がん	—
	VCN-01 Theriva BIOLOGICS (米国)	Phase2	すい臓がん 等	—
	LOAd703 Lokon Pharma社 (スウェーデン)	Phase2	胆管腫瘍、結腸直腸がん すい臓がん 等	—
ヘルペスウイルス (HSV-1)	Imlygic (talimogene laherparepvec) アムジェン	2015年承認 (米国・欧州)	悪性黒色腫 (メラノーマ)	65,000ドル/治療 約975万円
	デリタクト (teserpaturev) 第一三共	2021年承認 (日本)	悪性神経膠腫	約143万円/投与 投与6回まで (最大約858万円)
	RP1 (vusolimogene oderparepvec) Replimune (米国)	2024年申請 (米国)	悪性黒色腫 (メラノーマ)	—

※：1ドル150円換算

出所：「国立医薬品食品衛生研究所遺伝子医薬部ホームページ」「特許庁 特許出願技術動向調査報告書」「日経バイオ年鑑2022」より当社作成

## 世界各地域における 2020年・2040年の食道がん患者数



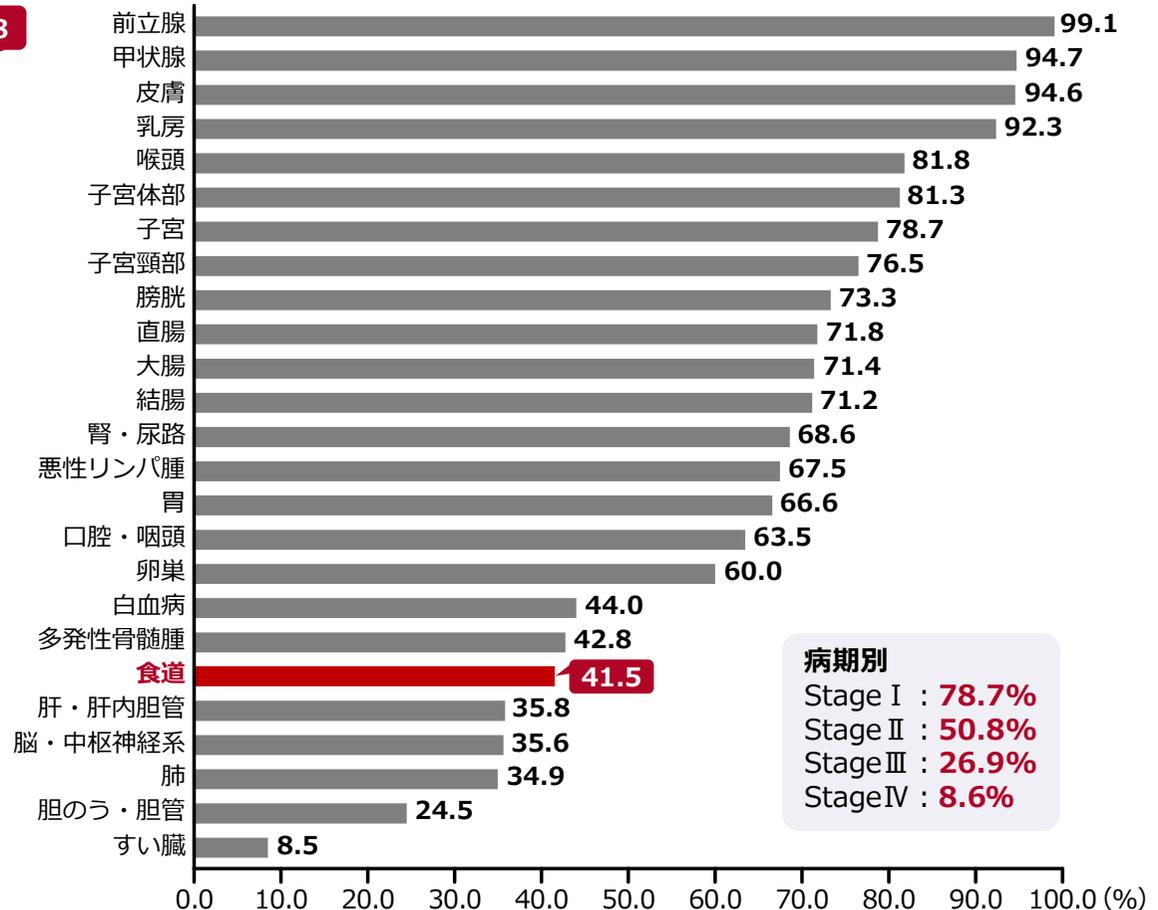
(上図)

- 2020年時点でアジアを中心に世界で60万人以上の患者がいます。
- 2040年には患者数が100万人を超えると予測されています。

(右図)

- 食道がんの5年生存率は41.5%であり、相対的に5年生存率が低い。
- StageⅢ、StageⅣ群では生存率はそれぞれ26.9%、8.6%です。

## 国内におけるがん種別の相対5年生存率



病期別

- StageⅠ : 78.7%
- StageⅡ : 50.8%
- StageⅢ : 26.9%
- StageⅣ : 8.6%

1. “嚥下障害（食道狭窄）”や“栄養障害”等によるQOLの低下に対し根本的な解決策が少ない。
2. 手術により食道の構造が変わることで逆流性食道炎や、ダンピング症候群、誤嚥などのリスクが高まる。
3. 免疫チェックポイント阻害剤、分子標的薬、従来の化学療法では、狭窄など局所的な寛解が困難である。
4. 食道癌の手術は長時間で侵襲が大きく、患者に大きな負担がかかる（手術困難な高齢者が多い）。
5. 嘔吐・脱毛・造血器障害等の副作用を伴う化学療法に耐えることが困難な患者が多い。
6. 肺・肝・腎・心臓などへの術後合併症が問題となっている。



- 現行の標準治療が困難な患者に対する**新たな治療法が望まれている**
- **がんを取り除くこと + 患者QOLの改善**につながる新規治療法の開発が必要

“がんを切らずに治療する”



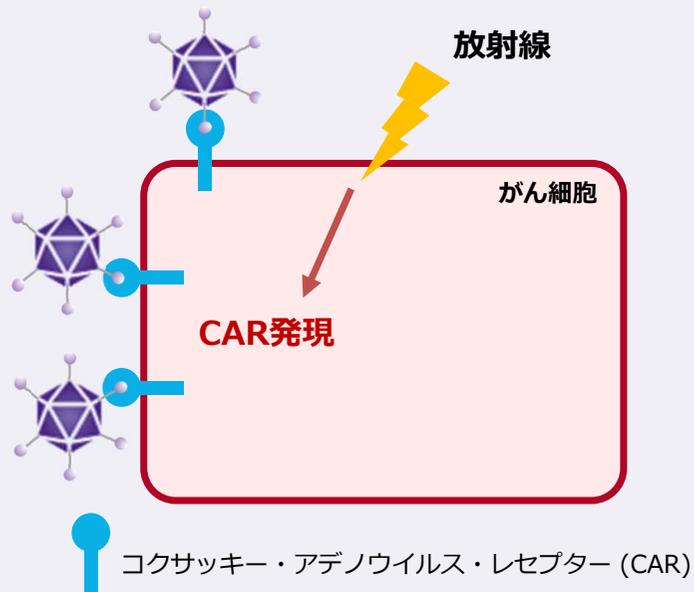
OBP-301は、がん細胞のみを破壊するように遺伝子改変された“腫瘍溶解アデノウイルス”です。

- 特長 ① 放射線治療との併用による相乗効果
- 特長 ② 長時間の手術を回避できる
- 特長 ③ アブスコパル効果（遠隔効果：放射線照射野以外のがん病変に対する効果）が期待される。
- 特長 ④ “局所進行性食道がん”におけるFirst-in-Classの治療薬  
→局所奏効率、生存率
- 特長 ⑤ 主な副作用は、発熱やリンパ球数減少であり、重篤なものは報告されていない
- 特長 ⑥ 化学放射線療法や免疫チェックポイント阻害剤との併用効果が期待される。

## 特長 ① 放射線併用による相乗効果

1. OBP-301と放射線の併用は、2つのメカニズムにより相乗効果が得られる
2. 「①がん細胞に感染しやすくなる」 + 「②放射線に切断されたがん細胞の自己修復を阻害する」

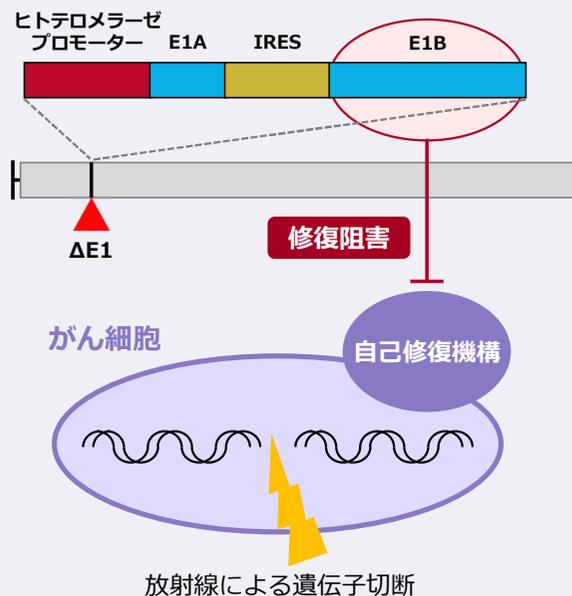
① 放射線の照射で、がん細胞にCAR<sup>\*</sup>が発現し、**OBP-301の感染力が向上**する



※ウイルスが細胞に侵入する際に吸着する受容体  
CARは正常な細胞に認められている一方、各種がん細胞において発現量が増加している

② OBP-301の持つタンパク質が、**放射線が切断したがん細胞の遺伝子自己修復機構を阻害**する

OBP-301の遺伝子構造



OBP-301の持つE1Bというタンパク質は、がん細胞のリン酸化<sup>\*</sup>阻害作用を有する  
(※がん細胞増殖に必要な反応機構)

放射線で切断されたがん細胞の遺伝子修復を阻害する

## 特長 ② 長時間の手術を回避できる



食道がんの根治手術は、

- ① がんを含めた胸部から腹部の食道を切除し（食道亜全摘）
- ② 頸部・胸部・腹部のリンパ節を周囲の脂肪組織ごと取ってしまって（リンパ節郭清）
- ③ 胃や腸を使って食物の新しい通路を造る（再建手術）

という術式が基本です。

病変の広がりや深さ、リンパ節転移の程度によって、切除範囲が変わることがあります。

手術時間は8～10時間かかります。

**OBP-301は“がんを切らずに治療する”を目指しています**

### 特長 ③ アブスコパル効果

1. 臨床研究において、治療8カ月後のPET-CT検査では、**原発巣・転移リンパ節ともに完全奏効が確認された**
2. OBP-301投与部位以外での**腫瘍縮小効果**より、全身性の抗腫瘍効果が示唆された

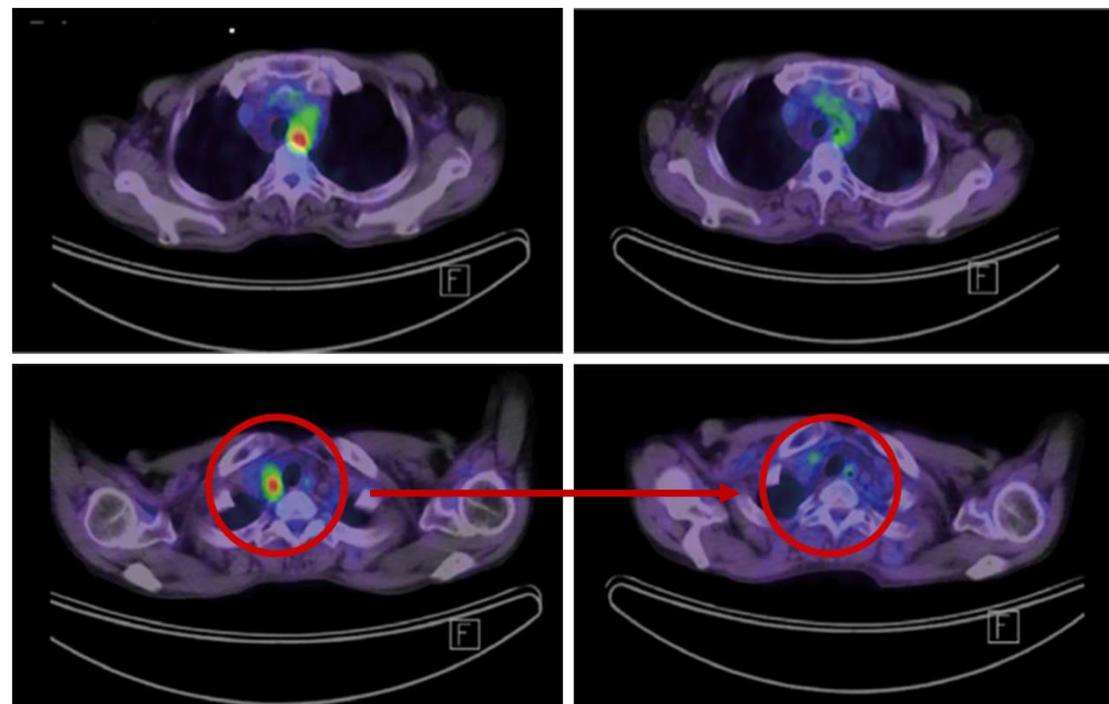
「アブ」 「スコパル」  
「遠くへ」 「狙いを定める」

原発巣  
**投与部位**

右反回神経  
リンパ節  
**遠隔部位**

Day 0

8 month



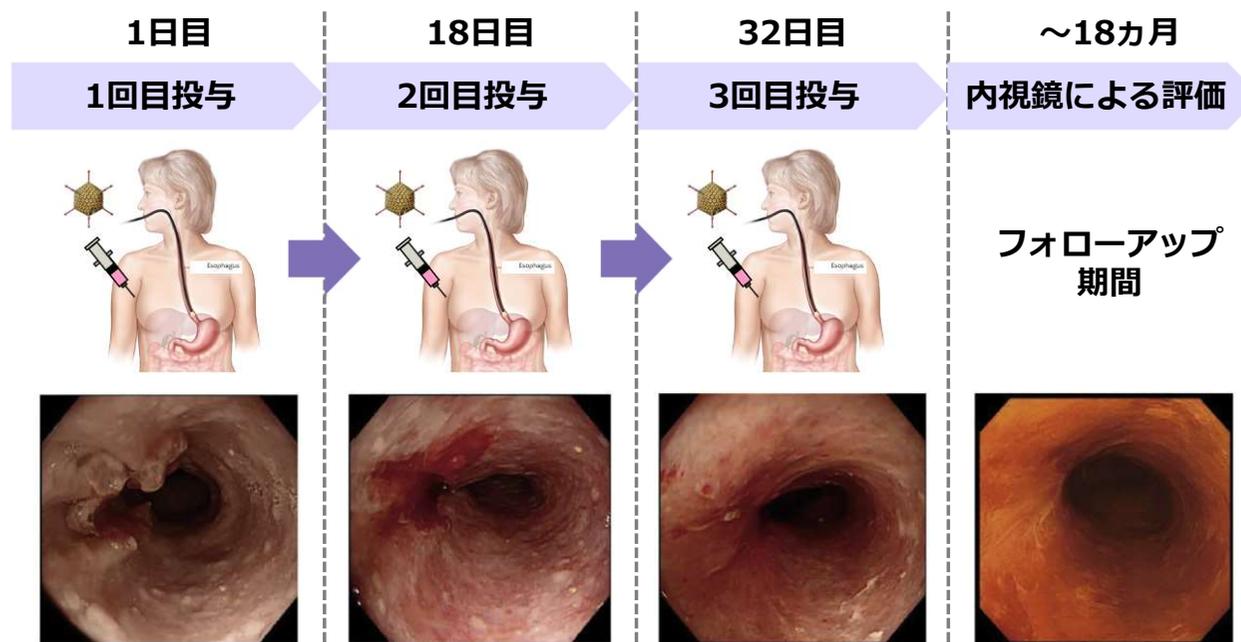
1. “根治的食道切除術の対象にならない患者※1”、“根治的化学放射線療法の対象にならない患者※2”を対象とした。
2. 6週間の放射線治療期間に、OBP-301を2週間おきに3回局所投与した。

※1：高齢・心機能低下のため手術ができない患者等 ※2：肝腎機能の低下により化学療法を受けられない患者等

日	月	火	水	木	金	土
					1	2
3	4	5	6	7	8	9
10	11	12	13	14	15	16
17	18	19	20	21	22	23
24	25	26	27	28	29	30
31	32	33	34	35	36	37
38	39	40	41	42	43	



□: OBP-301投与日  
 ■: 放射線治療日



特長 ④ 有効性評価：局所奏効率

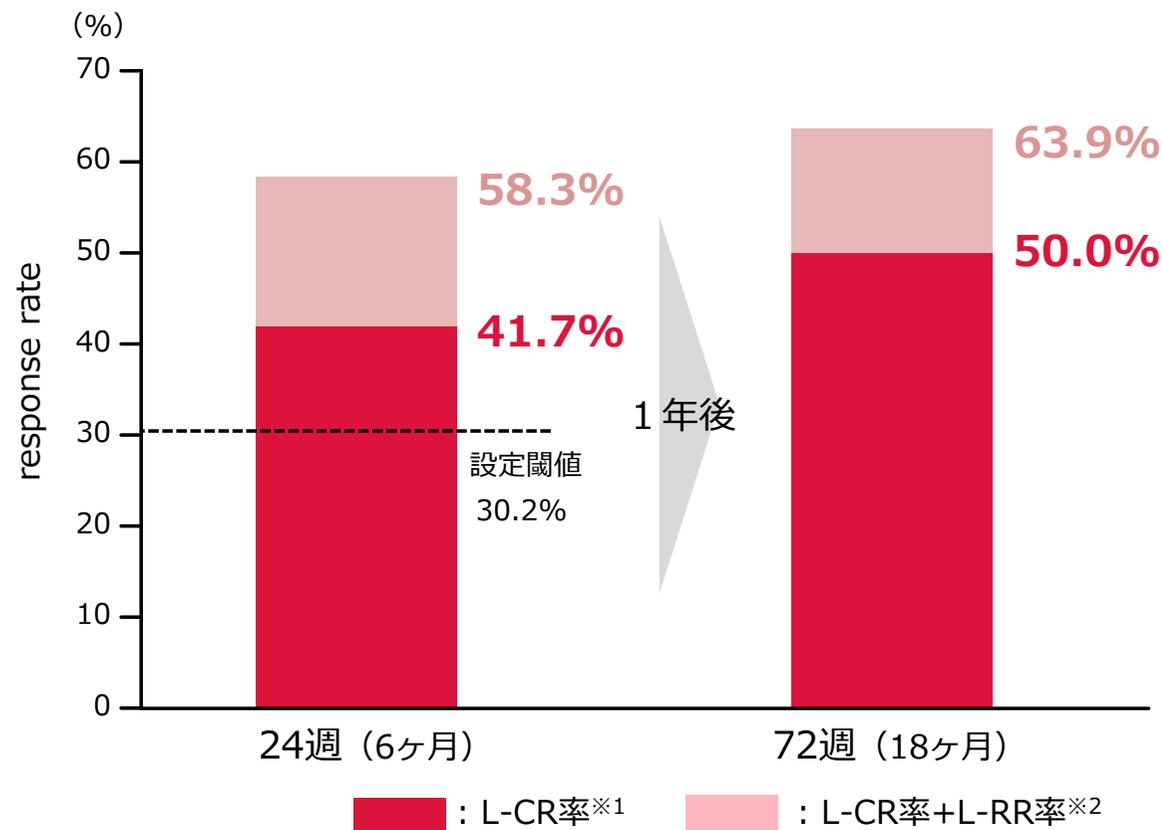


OBP-301の24週の局所奏効率は、

**58.3%** であり、  
18ヶ月で、**63.9%**

そのうち、局所完全奏効率は、

**41.7%** であり、  
18ヶ月で、**50.0%**



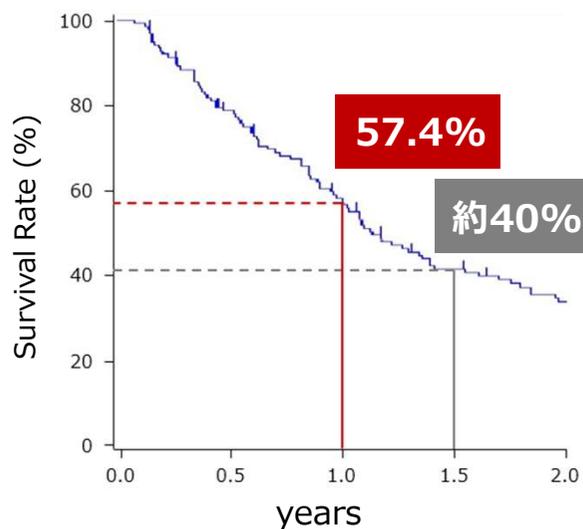
局所完全奏効、局所著効を達成した患者の割合  
(評価症例数：N=36)

※1 L-CR率 (局所完全奏効率)    ※2 L-RR率 (局所著効率)

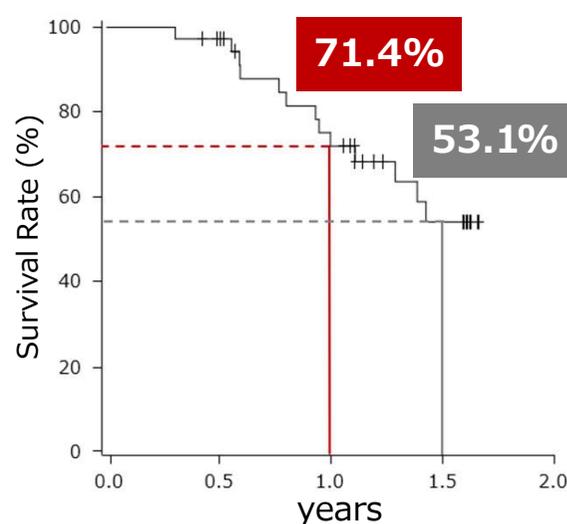
OBP-301により局所奏効が確認された症例では、生存確率が高い

生存率

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

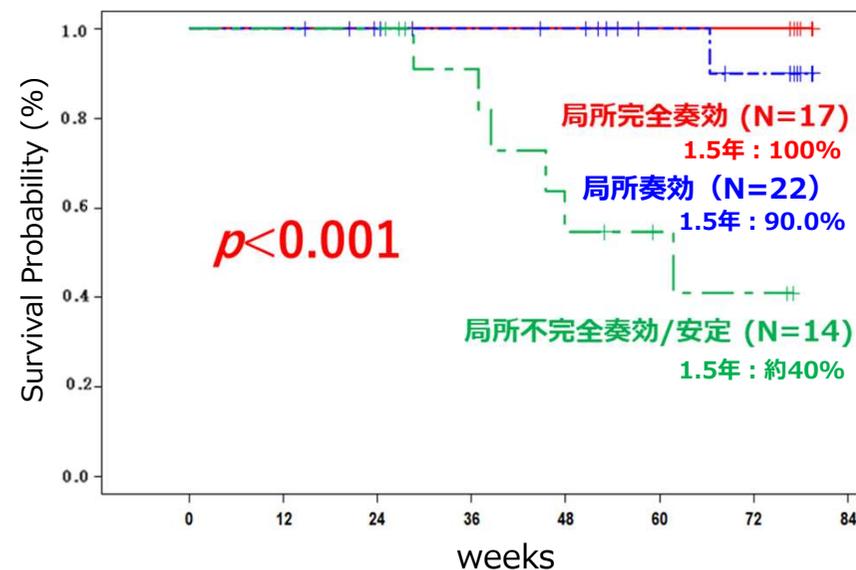


OBP101JP試験  
OBP-301 + 放射線療法  
(N=36)



がん関連生存率

OBP101JP試験  
OBP-301 + 放射線療法

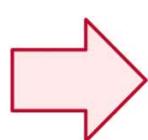


1. OBP-301と関連性のある主な副作用

発熱：51.4%

リンパ球数減少またはリンパ球減少症：48.6%

2. 上記の副作用は、軽度ないしは中等度、又は一過性の変化であった



化学療法など既存の食道がん治療で生じ得る、  
嘔吐・脱毛・造血器障害等の重篤な副作用は無かった。

## 特長 ⑥ 食道がんに対する化学放射線療法との併用効果

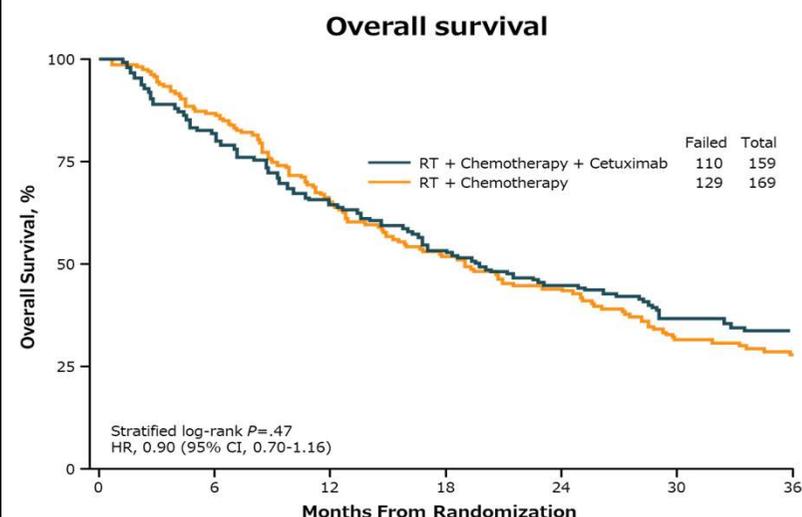


1. 有効性評価対象である13例の全例で、中間評価としての完全奏効（clinical CR\*）を確認しました。
2. 主な副作用は、軽度の風邪関連症状（20%）・中等度の食道炎（7%）です。
3. 今後、大規模な臨床試験で再確認できるかを検討していきます。

\*clinical Complete Response: 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腫瘍）の腫瘍消失が確認された症例。

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）

### 参考情報 （過去に実施された化学放射線だけのデータ） NRG/RTOG 0436 study（2008-2013年）\*\*



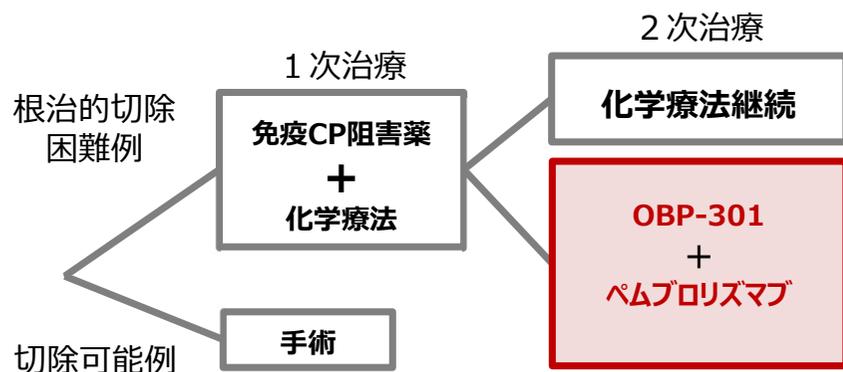
\*\*NRG発表資料を基に当社作成。

## 特長 ⑥ 免疫チェックポイント阻害剤との併用試験

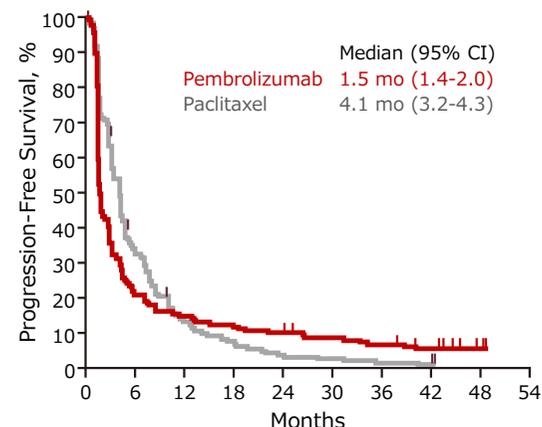


コーネル大学及びメルク社との共同開発体制を構築し、胃癌2nd Line治療への応用が進んでいる。

- 治療法が確立していない胃癌2次治療で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



ペムブロリズマブ単独治療の投与半年後の無増悪生存率は約**20%**。

メルク社及びコーネル大学との共同開発体制の構築

目標13例のうち6例の被験者に投与を行っている。

## ビジネスの状況

# OBP-301のビジネスモデル

OBP-301事業は、『製薬会社型事業モデル（販売提携）』で展開します。

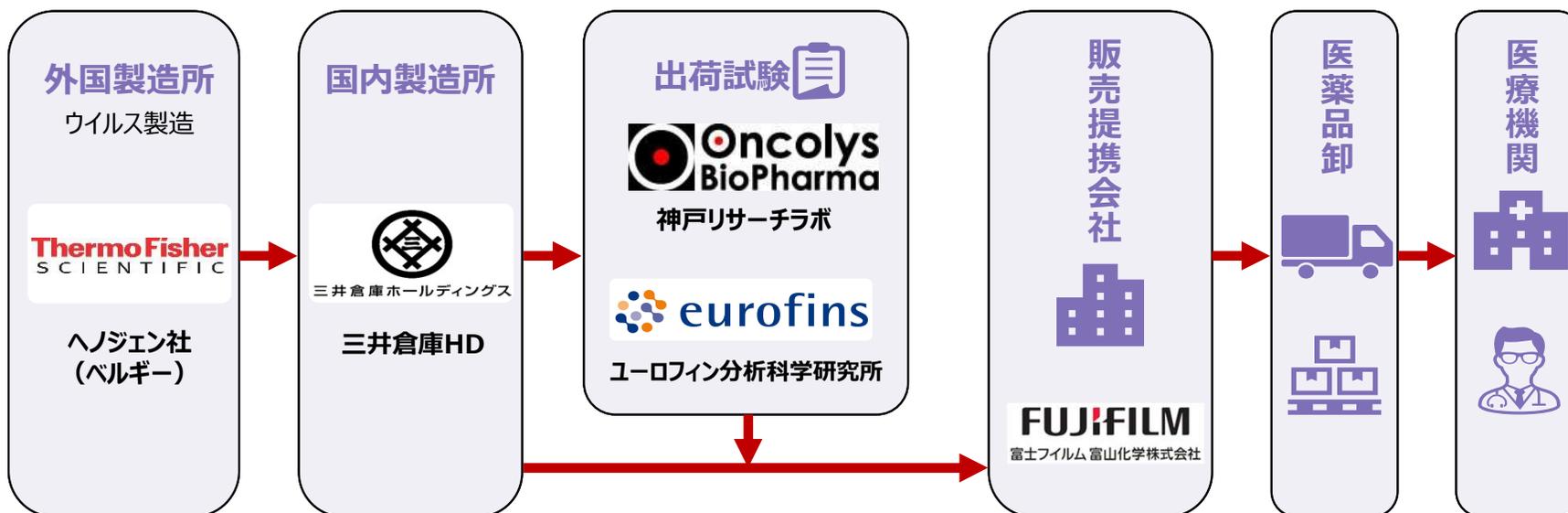




1. 原薬製造を開始し、2024年11月に十分な収量の原薬を確保した。
2. 製剤工程を新処方に変更したことで、ウイルス凝集体の発生は回避した。
3. 新処方製剤の可否について、PMDAと確認する。
4. 出荷前の品質試験が、国内で実施できるよう準備を進めている。

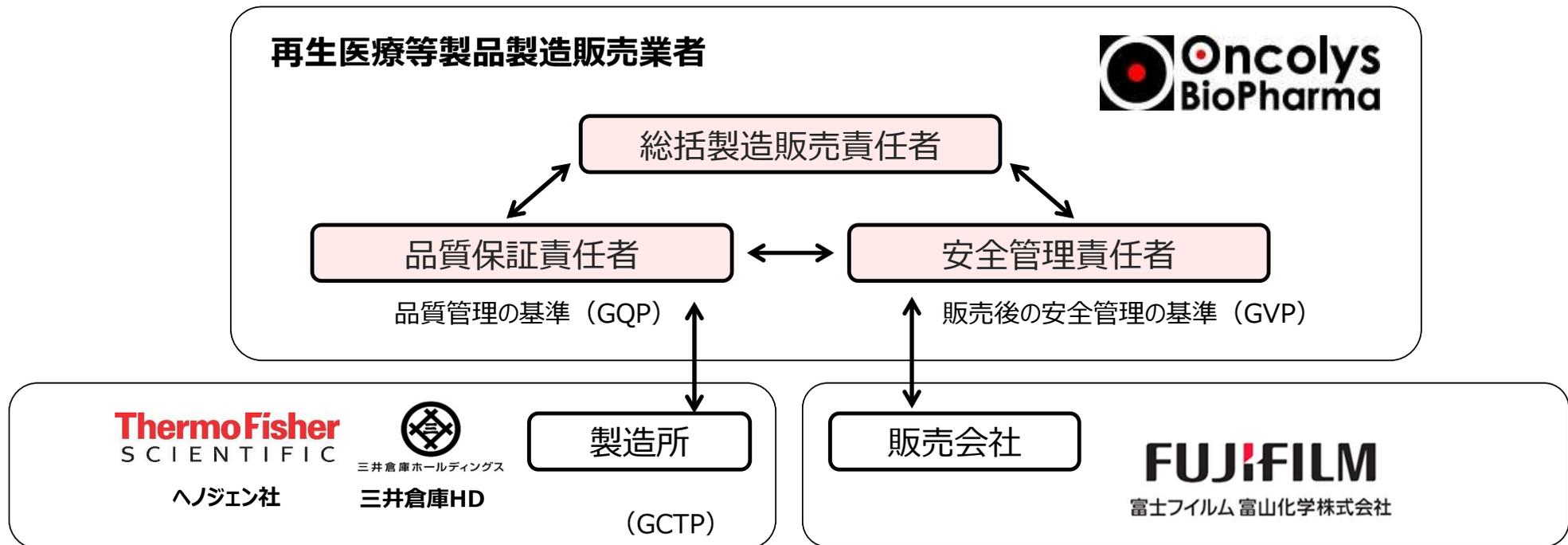
**2025年12月期に新製剤での12か月安定性データをクリアする**

# サプライチェーンの整備



	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"> <li>販売提携契約の締結</li> <li>販売体制の整備</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>製品供給契約の締結</li> <li>品質契約の締結</li> </ol>
三井倉庫HD	<ol style="list-style-type: none"> <li>流通体制の整備</li> <li>再生医療等製品向けの製造業許可</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>最終製品製造に関する品質協定書の締結</li> <li>国際/国内輸送テストの実施</li> </ol>

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。



# 国内販売パートナーとの提携



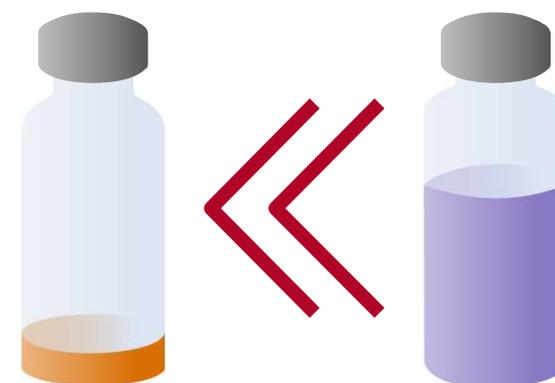
1. 2024年2月に富士フイルム富山化学と販売提携契約を締結した。
2. OBP-301の製品販売収入は、一般的なライセンス契約で得られる収入より大きくなる可能性がある。

## OBP-301の製品販売収入イメージ



ライセンス収入

製品販売収入



1桁～10%台程度の  
ロイヤリティ収入

## 1. これまでの進捗

- ① 台湾メディジェン社へ台湾における商業化権を許諾した。

## 2. 今後の方針

- ① 食道がん化学放射線療法併用試験を進展させるため、製薬会社等との提携交渉を進める。
- ② 放射線単独療法で食道がんの治療が行われている欧州で、製薬会社との提携交渉を進める。
- ③ 日本の承認資料を用いて商業化が見込めるアジア諸国で、提携拡大を目指す。



**“食道がん局所治療薬は、  
アンメットメディカルニーズを満たす”**



- ・現在の食道がんの標準治療は化学療法・手術が中心となっている
- ・超高齢社会により、高齢で罹患率の高い食道がん患者が急速に増加することが予想される

増加



高齢のため、長時間の手術に耐えられない患者



肝腎機能の低下により、化学療法が困難な患者



食道の温存を希望する患者



標準治療である化学療法において、副作用等により治療完遂が困難な患者



免疫チェックポイント阻害剤を用いた治療等で局所に効果を示さず、嚥下障害が残った患者



“**がんを切らずに治療する**” ことにより多くの患者がベネフィットを享受できると考えられる  
また、OBP-301の発売とともに、今後、局所治療のニーズが増えることが予想される

“世界初の腫瘍溶解アデノウイルス製剤” となる可能性があるOBP-301の価値を最大化していく

## 前提条件

1. Phase2臨床試験データで承認申請を想定
2. 想定薬価 140万円/vial  
※デリタクトの薬価を参照して設定
3. 投与方法 2週間おきに内視鏡で3回局所投与
4. 対象患者数  
食道がん患者数：約25,000人

承認取得

市場浸透

発売後5年間  
累積売上高  
48~135億円

他がん種への  
適応拡大

適応追加  
(ex食道閉塞、  
化学放射線療法)

OBP-301による  
年間売上高  
**100億円**  
を目指す

## 1. 製造関連のリスク低減

- ⇒ベルギーのヘノジェン社への製造拠点の集中を分散させる。
- ⇒分散先は、自社製造も含めて検討する。

## 2. 取り扱いやすい製剤への移行

- ⇒マイナス80℃保管から、取り扱いやすい製剤へ改良していく。

## 3. 効能追加

- ⇒食道がん領域での適応拡大を進める。
- ⇒食道がん以外での効能追加を進める。

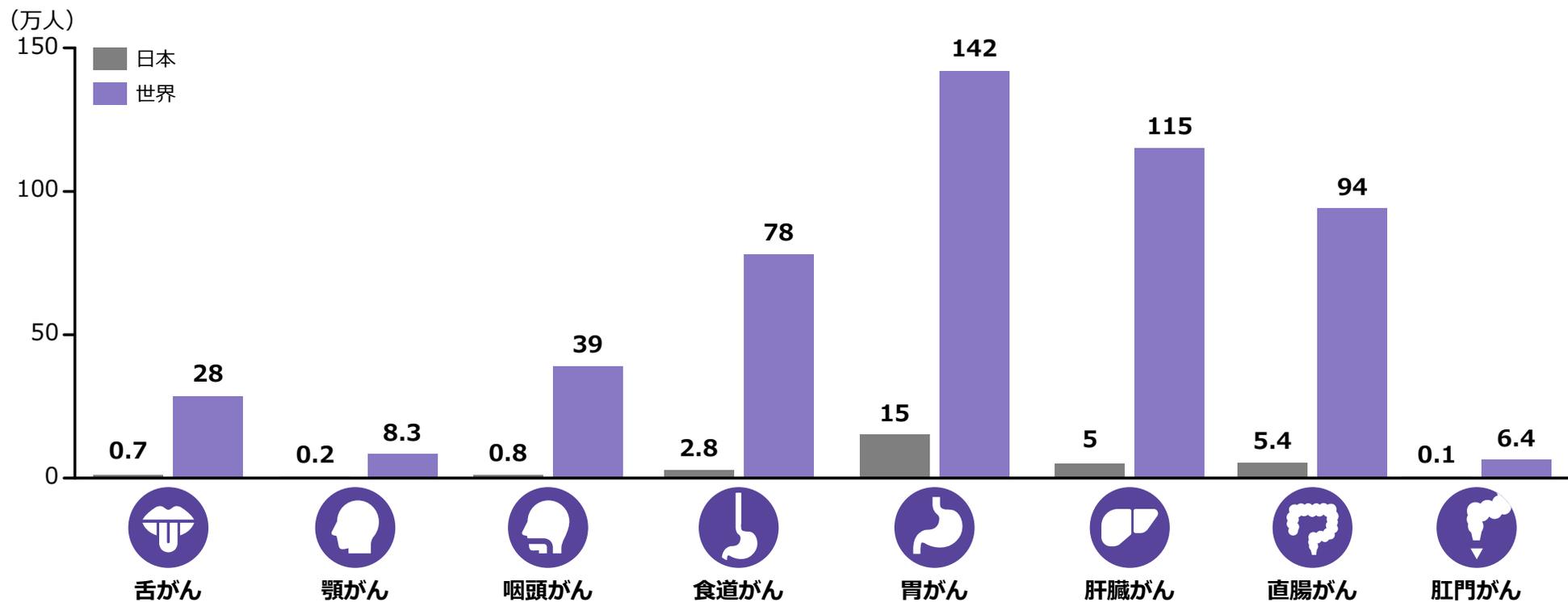
## 4. OBP-301とOBP-702の棲み分け

- ⇒2つの腫瘍溶解ウイルスの特徴を活かし、難治性を基準に棲み分ける。

# 適応拡大の方向性



“食べ物の入り口から出口まで”というマーケット戦略のもと、QOL低下が著しい疾患を対象に適応拡大を目指す



**OBP-301による対象患者数は世界に“510万人以上”です**

1. 国内承認申請に向けて、先駆け総合評価相談を開始した。
2. 医療現場への安定供給に向けて、商用製造が進んでいる。
3. 再生医療等製品製造販売業の業許可取得の準備を進めている。
4. 富士フイルム富山化学や三井倉庫とサプライチェーンを整備している。
5. メルクと費用を折半する米国での胃がん2次治療の臨床試験が進んでいる。

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

# トランスポゾン社へライセンスするまでの経緯

1 核酸系逆転写酵素阻害剤であり、当初は“HIV治療薬”として開発していました。

2 1日1回、10日間投与で、血液中のHIVウイルスを90%以上低下させました。

3 Bristol-Myers Squibb (BMS) 社が関心を持ち、2010年にOBP-601をライセンスしました。

4 ライセンス後、BMS社が世界17か国94施設でPhase2b試験を完了させ、“既存のHIV治療薬と同等の有効性”と“長期投与の安全性”が示されました。

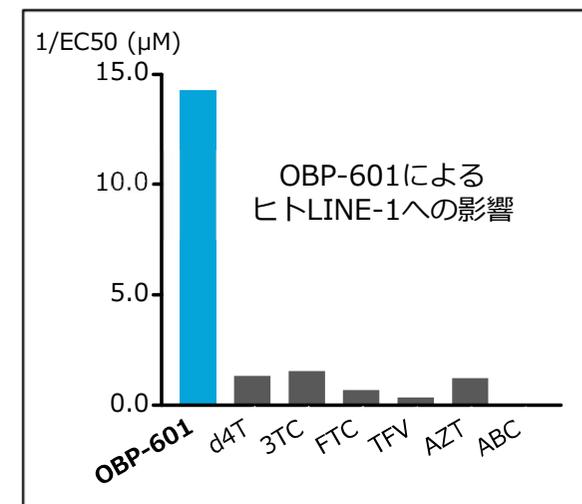
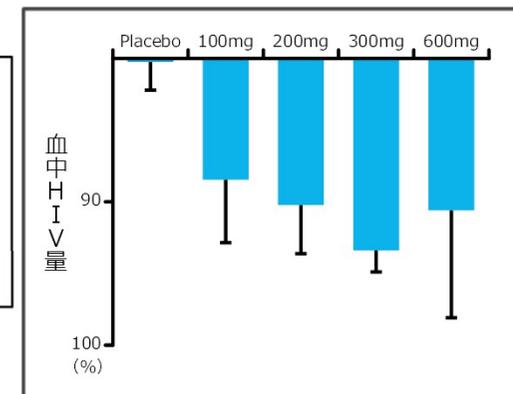
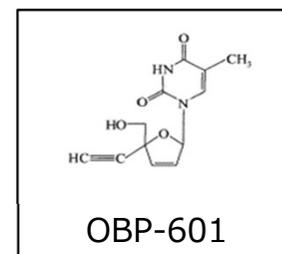
5 がん領域へ注力するため、BMS社はOBP-601のライセンスを終了しました。

6 米国ブラウン大学により、OBP-601はLINE-1 (レトロトランスポゾン) の逆転写酵素を強力に阻害することが確認されました。

7 高い脳内移行性が確認されました。

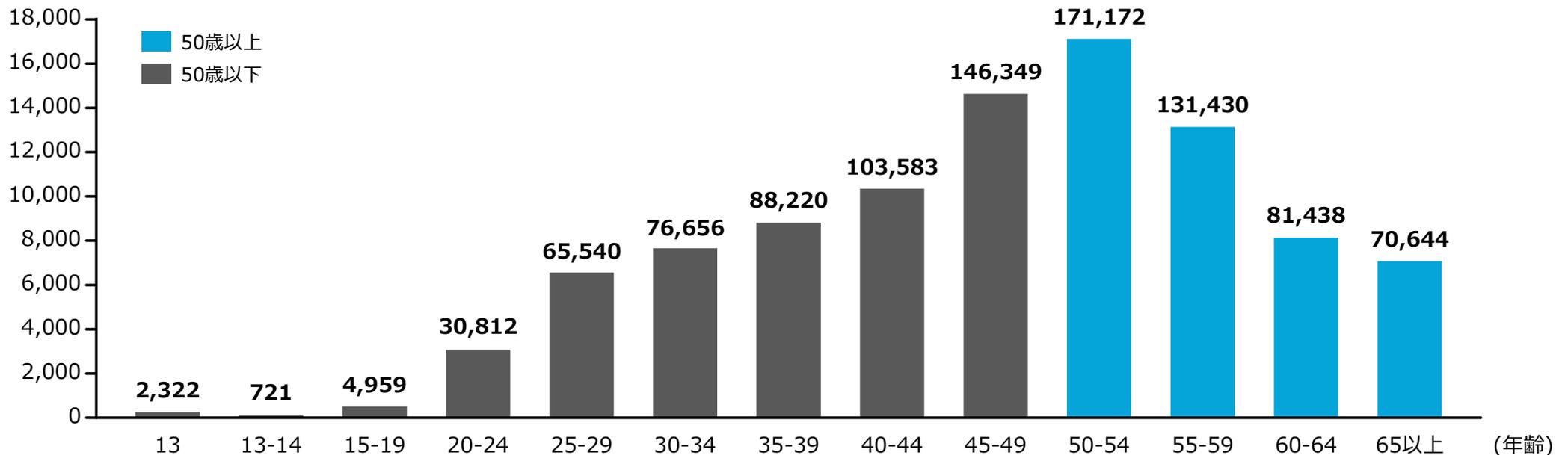
8 アルツハイマー病など神経変性疾患治療薬へ応用可能であることが示唆されました。

9 米国VCが本結果に注目し、OBP-601の商業化を目的にトランスポゾン社を設立し、当社はトランスポゾン社へOBP-601をライセンスしました。



1. 50代以上のHIV感染患者は、数十年に渡りHIV治療薬を服用している。
2. HIV治療薬を長期服用した患者において、50代前半をピークにアルツハイマー病の罹患数が下がっている。
3. 核酸系逆転写酵素阻害剤は、アルツハイマー病の抑制に関与していることが示唆された。

## HIV患者におけるアルツハイマー病の推移



OBP-601は世界唯一のLINE-1逆転写酵素阻害剤として、神経変性疾患に対する効果が期待されています。

**特長 ①** “新規メカニズム” を有するFirst-In-Classの神経変性疾患治療薬です。

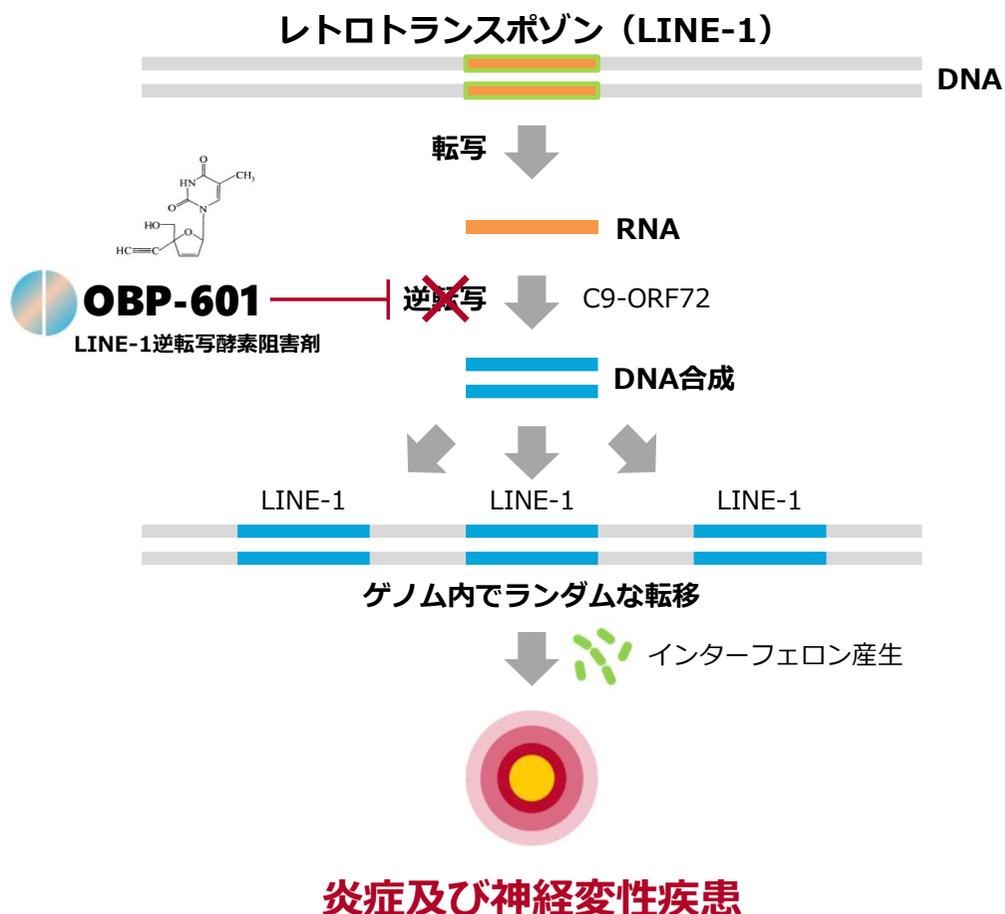
**特長 ②** 他のHIV治療薬と比較して“高いLINE-1の抑制”

**特長 ③** 様々な神経変性疾患における効果が期待されており、  
現在、下記の神経変性疾患治療薬として開発が進行・計画されています。

- ① 進行性核上性麻痺（PSP）
- ② 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- ③ アルツハイマー病
- ④ アイカルディ・ゴーティエ症候群（AGS）

**特長 ④** 現段階で競合薬の開発はない。

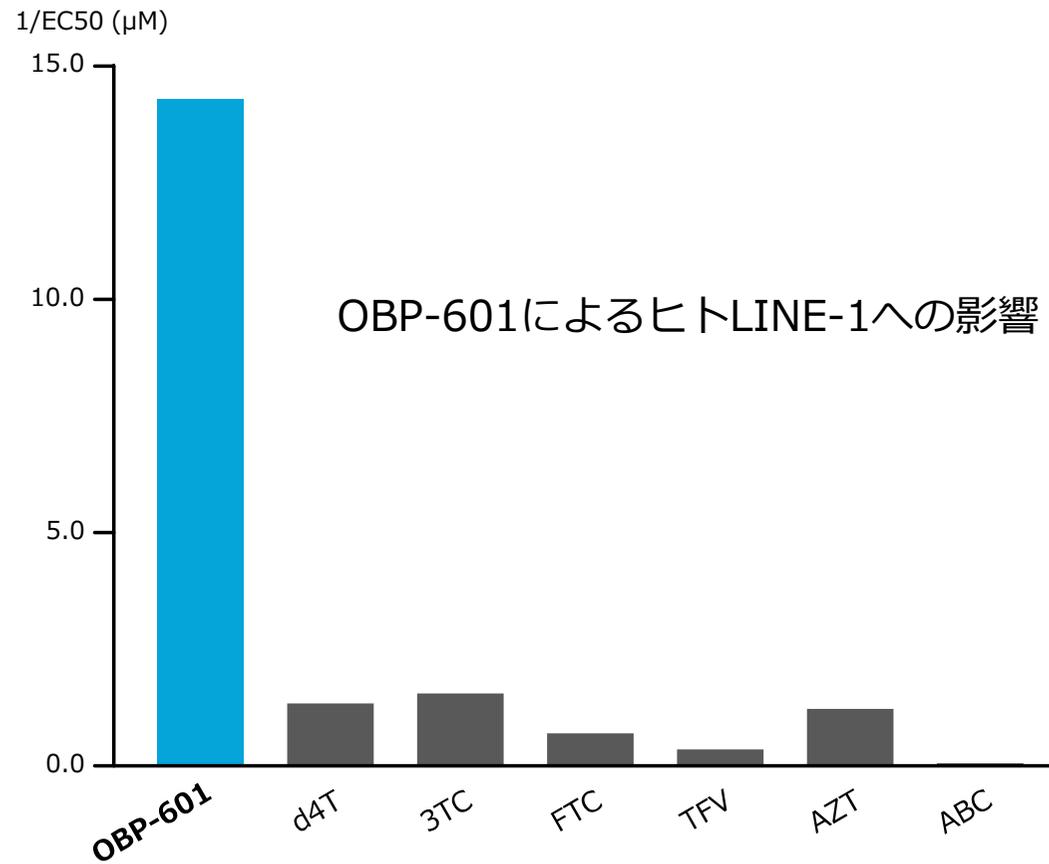
# 特長 ① OBP-601の新規メカニズム



1. LINE-1はレトロトランスポゾンという遺伝子で、神経細胞の炎症性変化を引き起こすと考えられています。
2. LINE-1を読み取ったRNAは、逆転写酵素により再びLINE-1ゲノムとして合成され、DNAの中にランダムに挿入されます。
3. 挿入された多くのLINE-1がインターフェロンなどの炎症物質を誘導して神経障害を起こさせます。
4. OBP-601は逆転写酵素を阻害することにより、各種の炎症性神経障害を抑制すると考えられています。
5. “**新規メカニズム**” の薬剤として、神経変性疾患治療薬で開発が進んでいます。

## 特長 ② 高いLINE-1の抑制

OBP-601は他の抗HIV薬と比較し、神経細胞においてLINE-1の産生を最も強く抑制した



## 特長 ③ PSP（進行性核上性麻痺）Phase2の結果

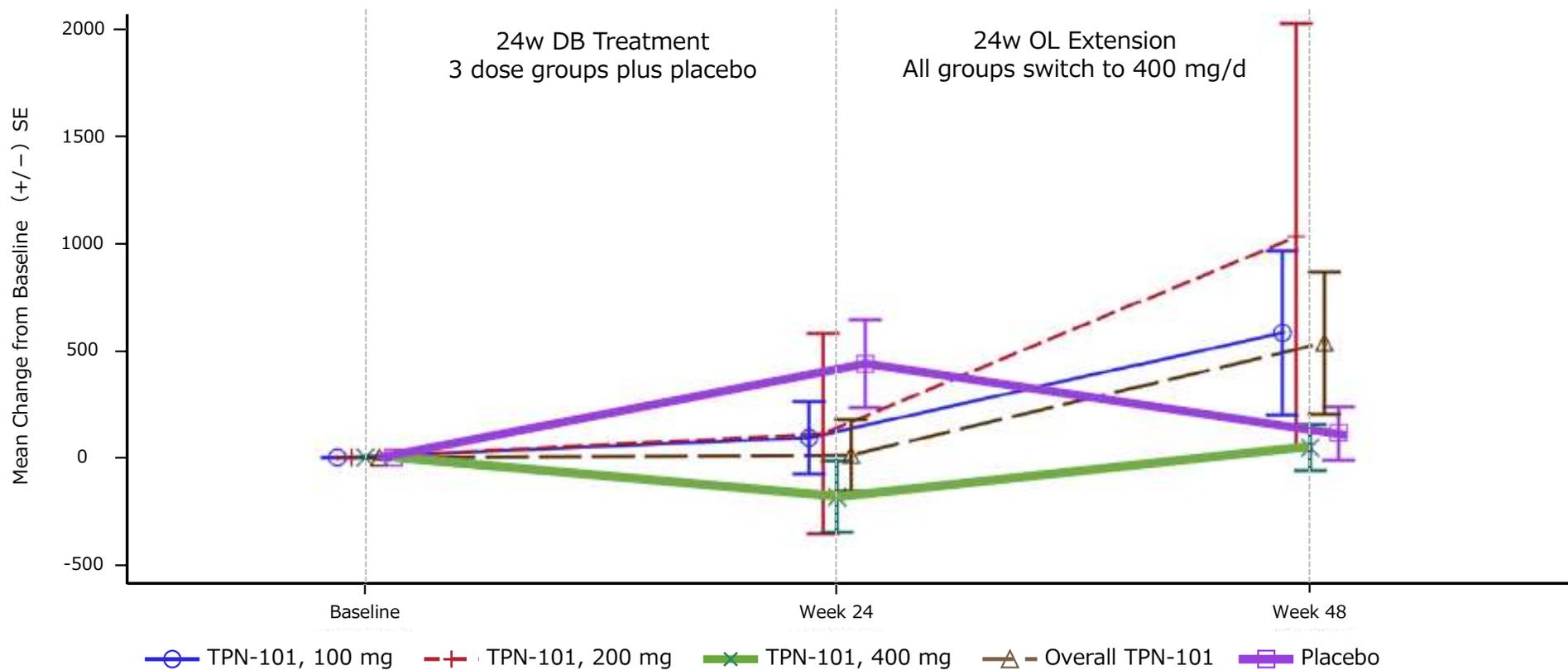


1. 米国食品医薬品局（FDA）より2024年5月に**ファストトラックに指定**された。
2. Phase2試験における48w最終解析データを2024年7月に開示した。
  - ① 神経変性疾患の主要バイオマーカーである**脳脊髄液中のNfL**を、プラセボと比較して**上昇を抑制**させた。
  - ② 炎症性神経変性のバイオマーカーである**IL-6**を**脳脊髄液中**で**低下**させた。
  - ③ 1日1回、最大48週間、経口投与され、**高い忍容性が確認**された。

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

### 特長 ③ NfL<sub>CSF</sub> 変化量 (48w)

400mg投与群では、48週後においてもNfL<sub>CSF</sub> 値が上昇が認められず安定していた



注：本発表はトランスポゾン社の了解を得ています。

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**。
- ⑤ FTDは、一定のバイオマーカー等の変化が認められなかった。

**2025年1月にALSのピボタル試験に向けた“End of Phase2 Meeting”を実施した。**

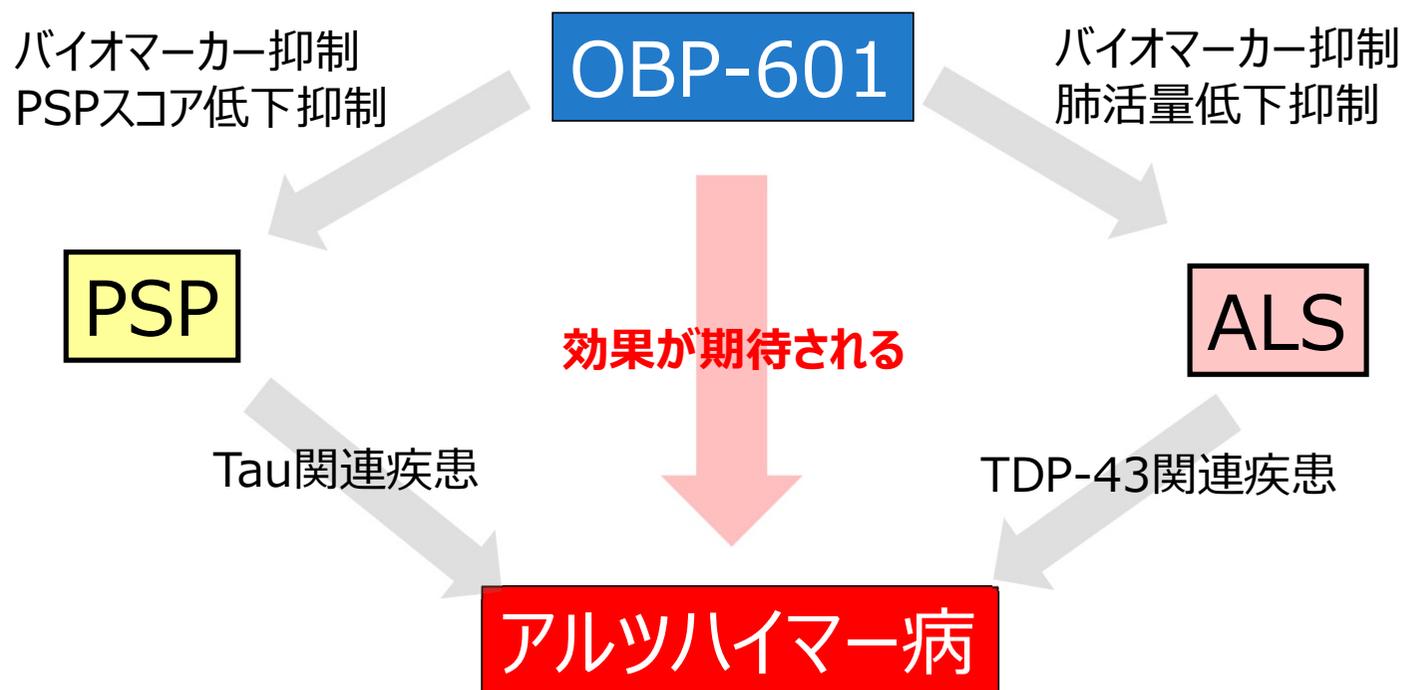
## “アルツハイマー病への適応”

## 特長③ OBP-601 (TPN-101) の現状



1. **LINE-1 阻害剤**として、PSPやC9 ALSに対してバイオマーカーや病態進展を抑制した“世界初”の化合物である。
2. OBP-601は、脊髄液中の**NfL、IL-6、IL-18、Osteopontin**の濃度を下げ、神経炎症を抑制していることが示唆された。
3. PSPやC9ALS試験の結果は、**アルツハイマー病**への展開を強く支持する。
4. FDAは、PSPへの適応について“**Fast Track**”に指定した。
5. 2024年7月に行われた**PSP**についてのEOP2会議で、“**Accelerated Approval**”を取得するためにType C会議を勧められた。
6. 2025年1月に行われた**ALS**についてのEOP2会議で、FDAはC9 ALSのみならずALS全体を対象としてPhase 2/3を実施することを強く支持した。
7. T社は、年内にFDAに対してALS治療の“**Fast Track**”指定を申請する予定である。

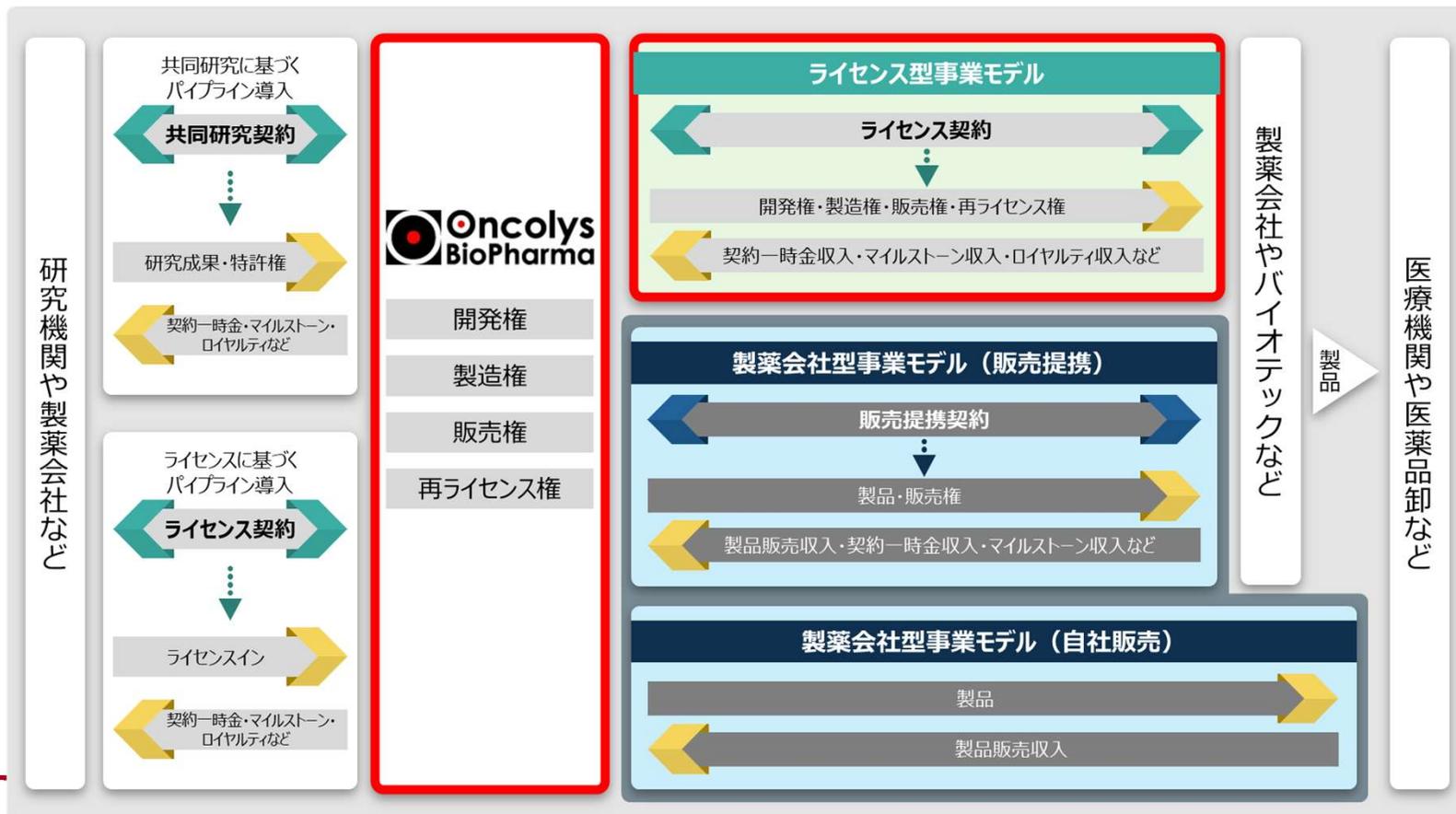
1. PSP試験やC9 ALS試験で認められたLINE-1阻害による炎症性神経変性のバイオマーカー (NfL、IL-6など) の変化は、ADにも応用可能である。
2. PSPとADは、ともにTauに関連した疾患である。TauはAD患者の脳に蓄積して神経毒を現す。
3. C9 ALSとADは、ともにTDP-43に関連した疾患である。TDP-43は認知機能を悪化させる因子といわれており、50%のAD患者に発現している。
4. 以上により、OBP-601はTau関連かつTDP-43関連疾患であるADに対して、炎症性神経変性を抑制し、その結果生じる認知機能低下にも効果を表す可能性がある



## ビジネスの状況

# OBP-601のビジネスモデル

OBP-601事業は、全世界で『ライセンス型事業モデル』を展開します。



1. PSP :
  2. ALS :
- 】 パートナリングまたはトランスポゾン社が資金調達を行い、Phase3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、M&A、IPOなどEXITを考慮中。

# ライセンス契約概要と再ライセンス/M&A時の展開



2020年6月に、当社はトランスポゾン社とライセンス契約を締結しました。

1. 対象疾患：神経変性疾患
2. 地域：全世界
3. 契約総額：3億ドル（450億円\*）以上。但し、販売ロイヤリティ収入を除く。
4. コスト：開発・製造・販売コストはトランスポゾン社が全額負担する。

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などトランスポゾン社の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、 <b>長期間の安全な投与</b> 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	<b>高い脳内移行性</b> 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（NfL）変化に基づいて承認された。
取扱い	1日1回の <b>経口での投与</b>	<b>侵襲を伴う腰椎穿刺術</b> 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）

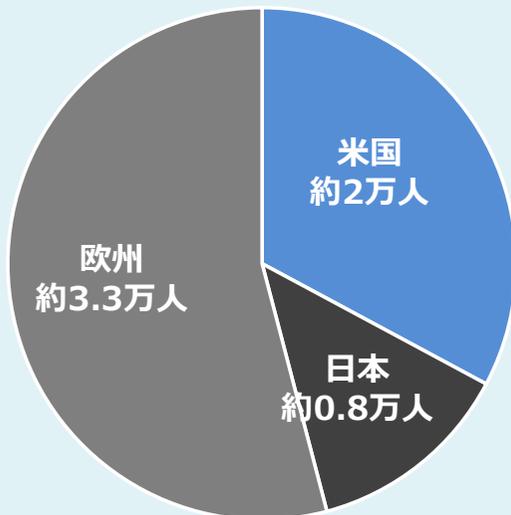
<神経難病領域のライセンス例> ※ 1ドル150円換算

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
2024年11月	Sarepta	米Arrowhead	1237億円	1612億円	筋ジストロフィー	核酸
2024年12月	Novartis	米PTC	1500億円	4350億円	ハンチントン病	低分子

	PSP 進行性核上性麻痺	ALS 筋萎縮性側索硬化症	アルツハイマー病
症状	<ul style="list-style-type: none"><li>● 眼球運動障害</li><li>● 姿勢保持障害、</li><li>● すくみ足、パーキンソン症状</li><li>● 発語・言語障害、</li><li>● 認知機能低下（記憶障害）</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>● 上位運動ニューロン兆候 ・筋力低下・腱反射亢進 等</li><li>● 下位運動ニューロン兆候 ・筋萎縮 等</li><li>● その他 ・構音障害、嚥下障害 等</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>● 記憶障害</li><li>● 判断力低下</li><li>● 見当識障害</li><li>● 実行機能障害</li><li>● 認知機能障害</li><li>● 弄便・異食</li></ul>
治療薬	<ul style="list-style-type: none"><li>● L-dopaの投与を考慮</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>● リルゾール</li><li>● エダラボン</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>● レカネマブ</li><li>● ドナネマブ</li><li>● メマンチン</li><li>● ドネペジル</li></ul>

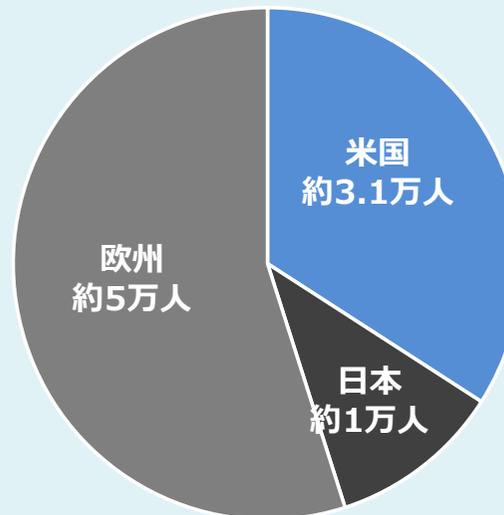
**治療法が確立されていない神経難病で、  
OBP-601のプレゼンスを確立する**

## PSP（進行性核上性麻痺）



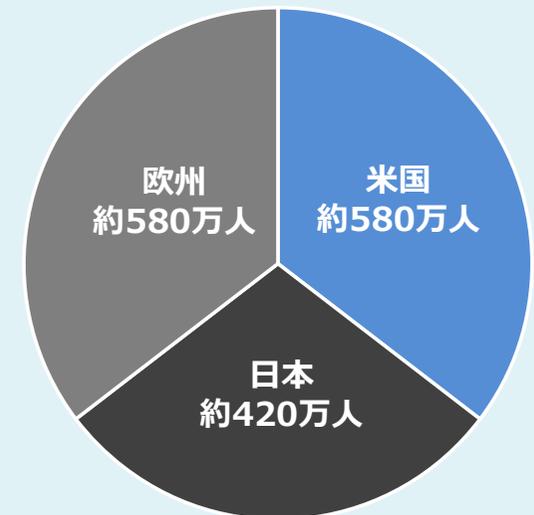
合計：約6.1万人

## ALS（筋萎縮性側索硬化症）



合計：約9.1万人

## アルツハイマー病



合計：約1580万人

出展：PSP, 日本：難病医学研究財団難病情報センターより 米国、EU：PREVALENCE OF PROGRESSIVE SUPRANUCLEAR PALSY (PSP) IN EUROPE, JAPAN AND THE USA  
ALS, 日本：難病医学研究財団難病情報センターより 米国：<https://www.cdc.gov/als/WhatisALS.html> EU：<https://cordis.europa.eu/project/id/259867>

アルツハイマー病、日本：2015年1月「認知症施策推進総合戦略～認知症高齢者等にやさしい地域づくりに向けて～（新オレンジプラン）」の2025年推計値。 米国：2020 Alzheimer's disease facts and figures 欧州：世界アルツハイマーレポート 2009より推計。

## TRANSPONON

- ①グローバル製薬企業へのサブライセンス
- ②IPO、またはM&AによるExit

希少疾患領域における  
OBP-601のプレゼンスの確立

PSP  
ALS/FTD  
AGS

適応疾患の  
拡大

アルツハイマー病  
Market Size

2022年  
63億ドル※

CAGR4.6%

市場規模の  
拡大

アルツハイマー病  
Market Size

2030年  
91億ドル※

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

## 開発状況と優先順位を引き下げた理由

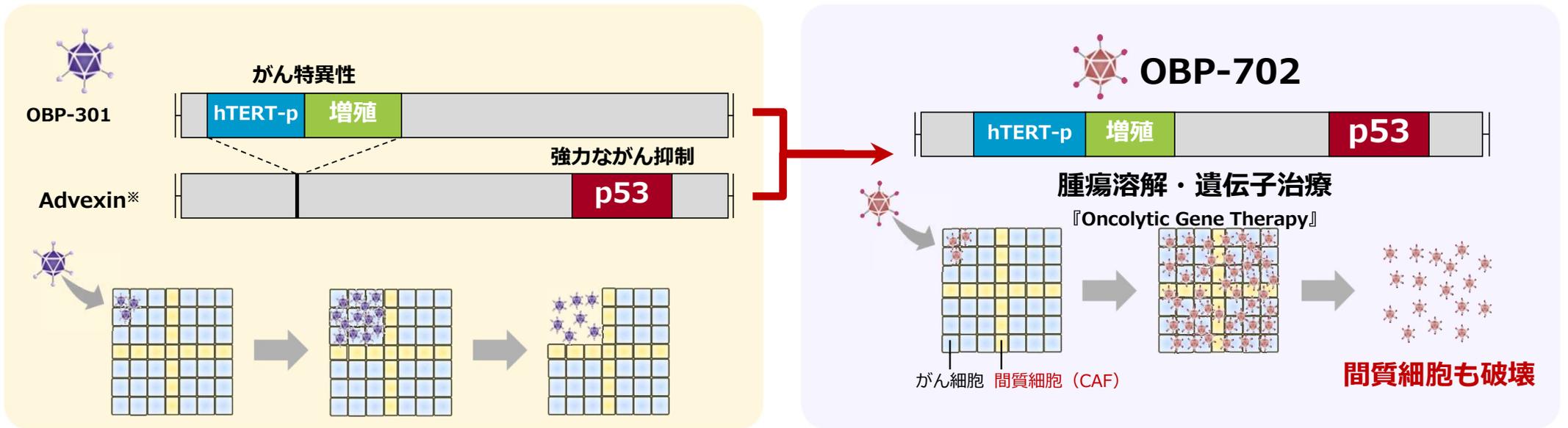
1. 2020年の国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成金を活用し、原薬GMP製造を進めた。
2. OBP-301へリソースを集中するため、OBP-702の開発優先順位を引き下げた。



## 今後の計画

1. 岡山大学は、AMED助成金（2025年4月～2028年3月）を活用して、すい臓がん患者を対象に医師主導治験を行い、OBP-702を初めて投与する予定。
2. 当社はOBP-702の治験薬を製造し、岡山大学の医師主導治験に供給する。
3. 岡山大学がOBP-702の臨床における安全性や用法を検討し、その後に当社が臨床開発を引き継ぐ予定。

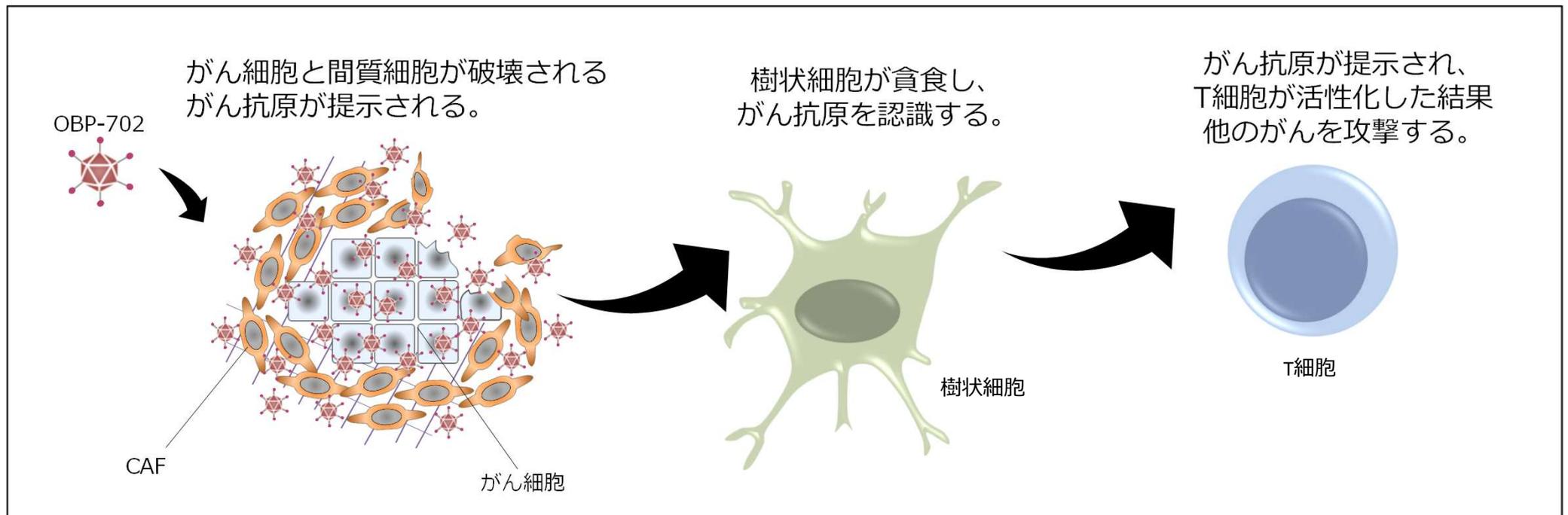
# OBP-702の特長



1. ヒトが持っている強力ながん抑制遺伝子p53を搭載した次世代腫瘍溶解ウイルスです。
2. OBP-702は、ウイルス増殖とp53によるアポトーシス（細胞死）の2つの腫瘍殺傷効果により、高い抗腫瘍性が期待されます。
3. 抗がん剤治療の妨げとなる間質細胞（CAF: Cancer Associated Fibroblast）を破壊します。
4. OBP-301より約10倍～30倍高い活性を示します。
5. p53遺伝子欠損・変異がんへの効果が示されています。
6. ゲムシタビン耐性膀胱癌モデルにおいて、CPI併用効果が確認されました。

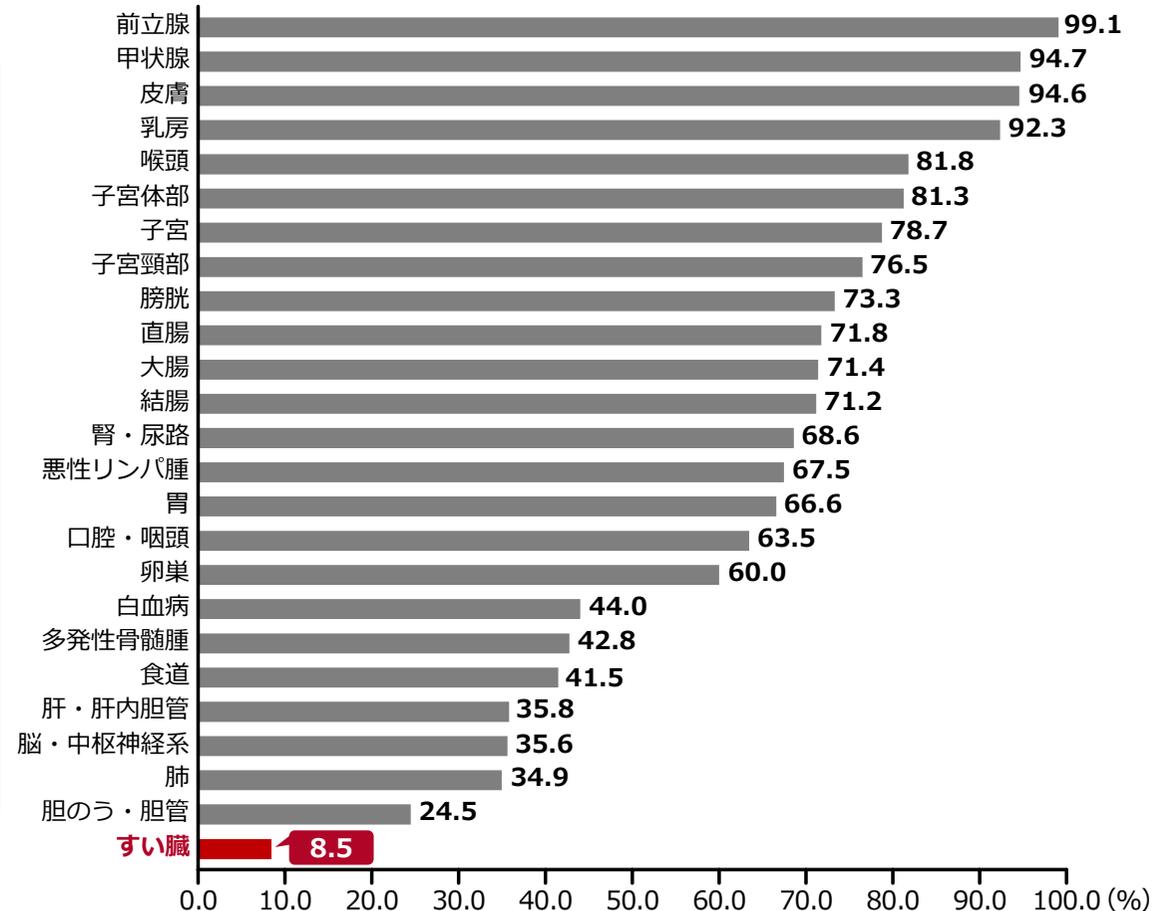
※：癌抑制遺伝子p53を使った遺伝子治療であり、Introgen社が開発

1. 治療抵抗性のがん細胞の周囲に間質細胞（CAF）が存在して、治療薬の効果を減弱させている。
2. OBP-702が間質細胞（CAF）を破壊することによって、がん組織全体への効果が期待される。
3. すい臓がん、卵巣がん、胃がんの腹腔内転移などに適応が期待される。



1. すい臓がんの多くが**早期発見が困難**であり、Stage III～IVで発見されます。
2. 組織全体に間質細胞が多く、**治療抵抗性**があります。
3. 早期に浸潤・転移しやすく、**約7割が手術不可**です。
4. 世界の**患者数は約50万人**です。
5. 手術が困難な患者に対し、FOLFIRINOX療法、ゲムシタビンとナブパクリタキセル併用療法、ゲムシタビン単独療法、S-1単独療法などの化学療法があるものの、**医療ニーズ満たす余地が大きく存在**します。

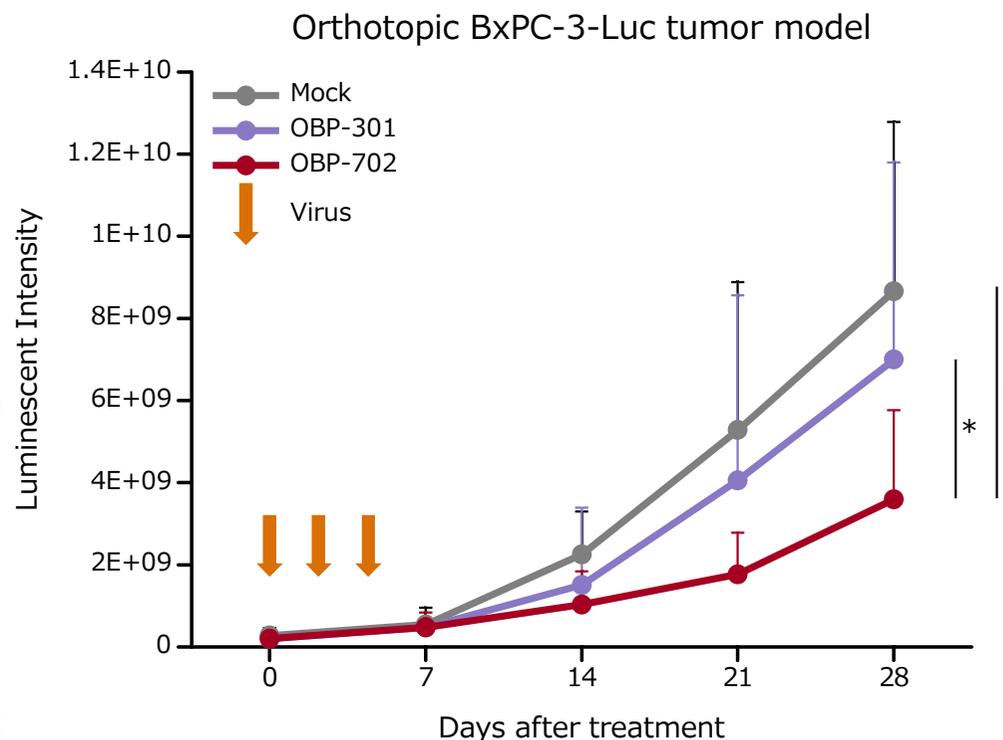
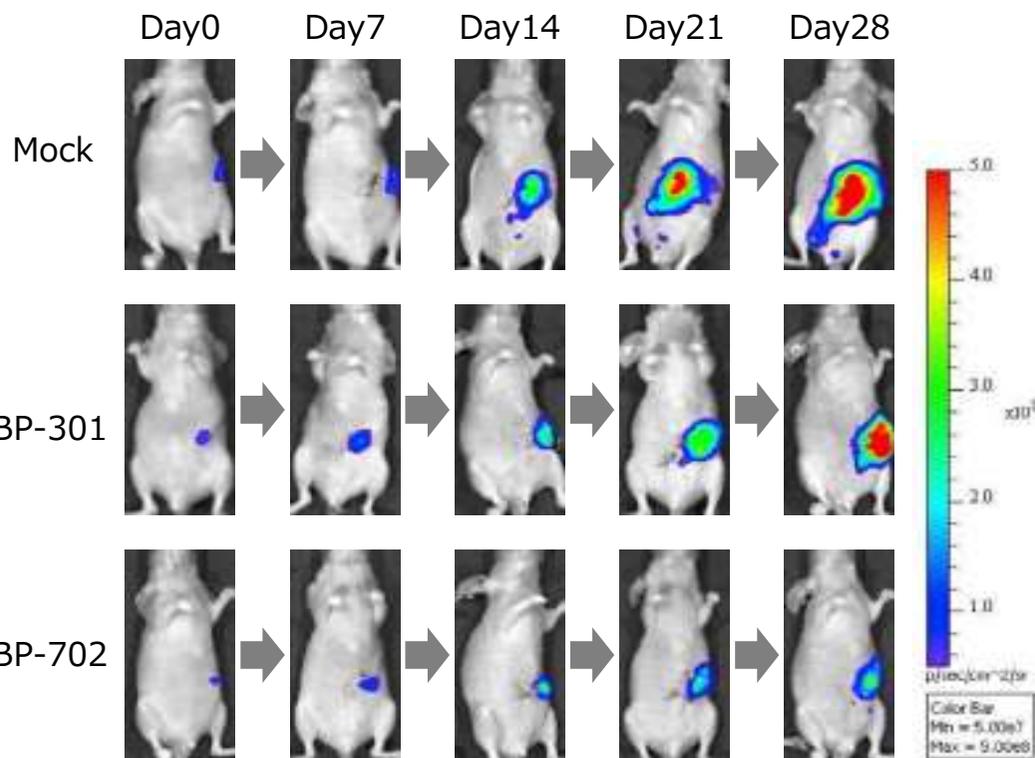
国内におけるがん種別の相対5年生存率



# OBP-702の効果

OBP-702はOBP-301と比較して、すい臓がんの増殖を強く抑制している。

## 同所性移植モデルにおけるOBP-702の傷害性



# 主な遺伝子挿入した腫瘍溶解ウイルスの開発状況



	ウイルス名	会社	挿入遺伝子	標的がん種
アデノウイルス	OBP-702	オンコリスバイオファーマ	p53	すい臓がん、卵巣がんなど固形がん
	CG0070	CG Oncology (米国)	GM-CSF	膀胱がん
	LOAd703	Lokon Pharma (スウェーデン)	CD40L&4-1BBL	すい臓がん
	TILT-123	Tilt (フィンランド)	TNF- $\alpha$ 、IL-2	各種固形がん
	VCN-01	Theriva Biologics (米国)	Hyaluronidase	すい臓がん
ヘルペスウイルス	T-VEC	Amgen (米国)	GM-CSF	メラノーマ (承認済み)
	OrienX010	OrienGene (中国)	GM-CSF	メラノーマ、肝臓がん

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

### 優先順位の引き下げ理由

1. ピーク時と比較して、新型コロナウイルス感染症による重症患者数が減少している。
2. 新型コロナウイルス治療薬が相次ぎ上市された上に、新薬承認のハードルが上昇している。
3. ワクチン普及や集団免疫の獲得により患者数が減少したことで、臨床試験の実施ハードルが上がっている。
4. OBP-301の承認申請に、当社リソースを集中させている



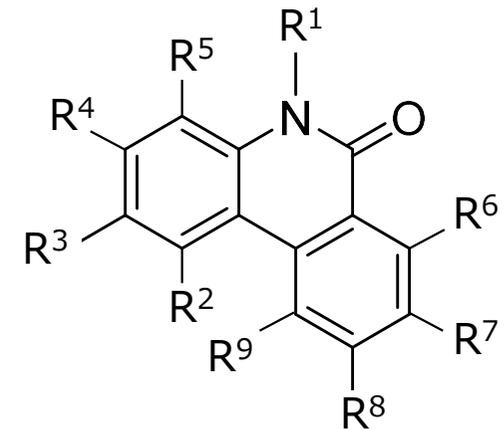
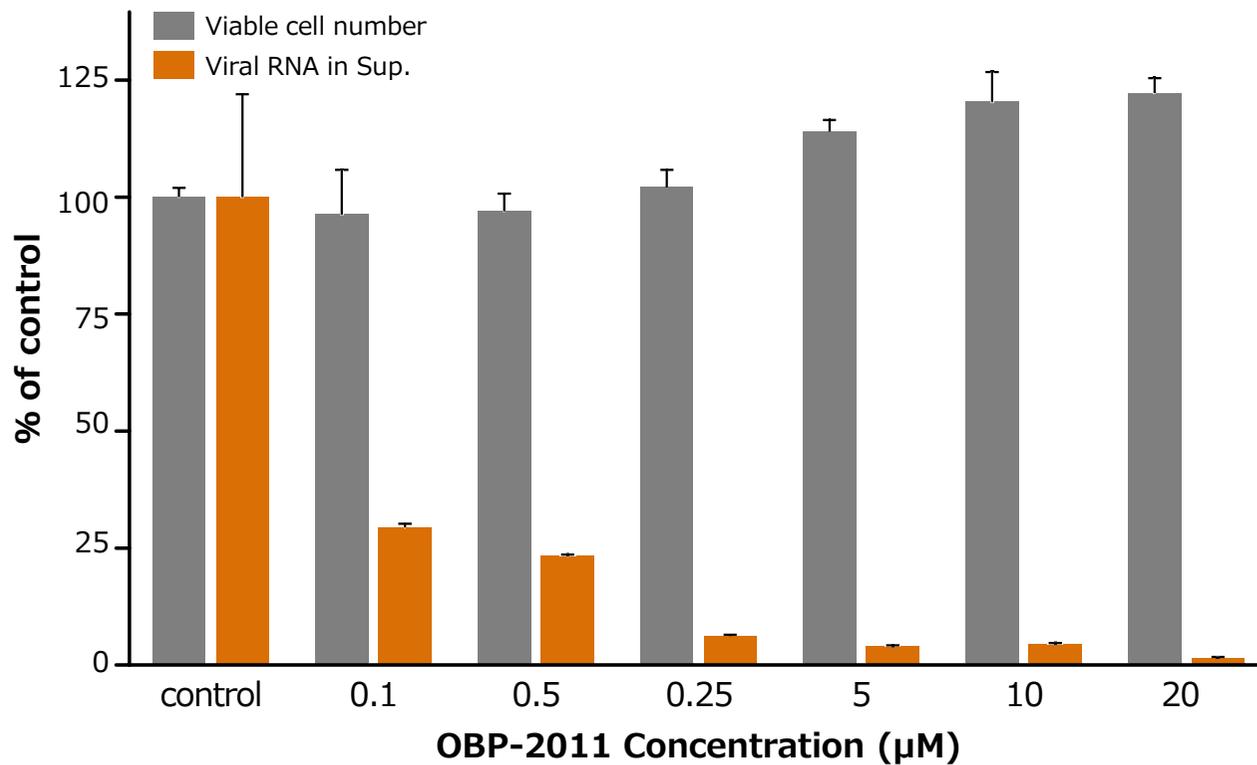
### 今後の計画

1. 鹿児島大学との共同研究で、“他のRNAウイルス”への効果確認を進め、新たな適応を検討している。

# OBP-2011 抗ウイルス活性

OBP-2011は細胞障害性を示すことなく用量依存的にSARS-Cov-2増殖を抑制

HEK293/ACE2細胞使用



	EC <sub>50</sub> (µM)	EC <sub>90</sub> (µM)	CC <sub>50</sub> (µM)
<b>OBP-2011</b>	<b>0.063</b>	<b>1.78</b>	<b>20</b>
レムデシビル	0.015	0.03	>5
モルヌピラビル	0.88	1.79	>20

# OBP-2011の抗ウイルス作用

1. OBP-2011は広範囲のコロナウイルス変異株に作用した。
2. 今後起こり得るパンデミックの備えとしてメカニズム解明を進めていく必要がある。

ウイルス		EC <sub>50</sub> (μM) (VERO細胞)	相対活性 (従来株との比活性)	
SARS-CoV2 新型コロナ (2019)	従来株 (WK-521)	4.40	1.0	
	(QK002, UK)	3.37	1.3	
	アルファ (QNH001, UK)	(QNH001, UK)	4.07	1.1
		(QNH002, UK)	3.62	1.2
	ベータ (TY8-612, SA)	(TY8-612, SA)	5.12	0.9
		(TY7-501, BR)	3.53	1.3
	ガンマ (TY7-503, BR)	(TY7-503, BR)	5.28	0.8
		デルタ (Y11-927, IN)	3.47	1.3
オミクロン (TY8-873, SA)	2.80	1.5		
SARS-CoV1 (2002)	-	2.15	(2.1)	
MERS-CoV(2012)	-	0.74	(6.0)	

## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

## 開発状況と優先順位を引き下げた理由

1. 順天堂大学と共同研究講座を設け、AI技術を用いた検査自動化プラットフォームの完成を目指した。
2. しかし、AIによる画像学習のための検体数が不足しているため、当初計画より開発進捗が遅れた。
3. OBP-301へリソースを集中するため、OBP-401の開発優先順位を引き下げた。



## 今後の計画

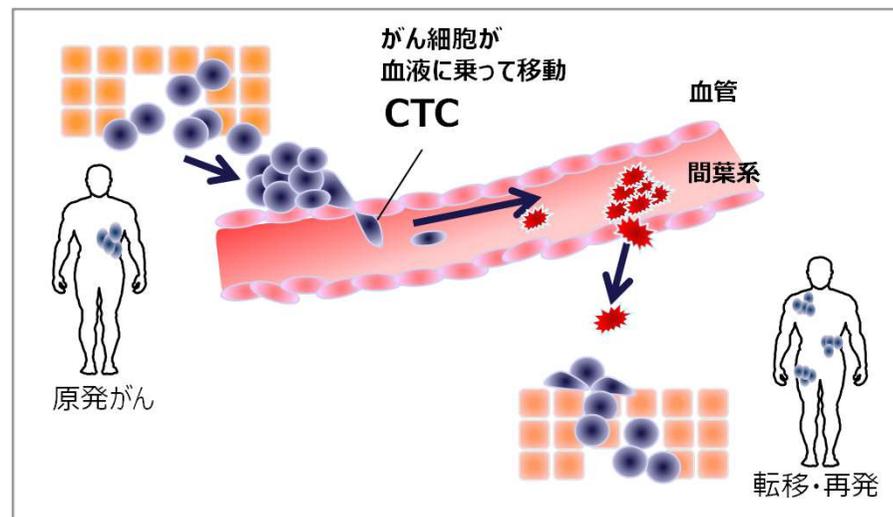
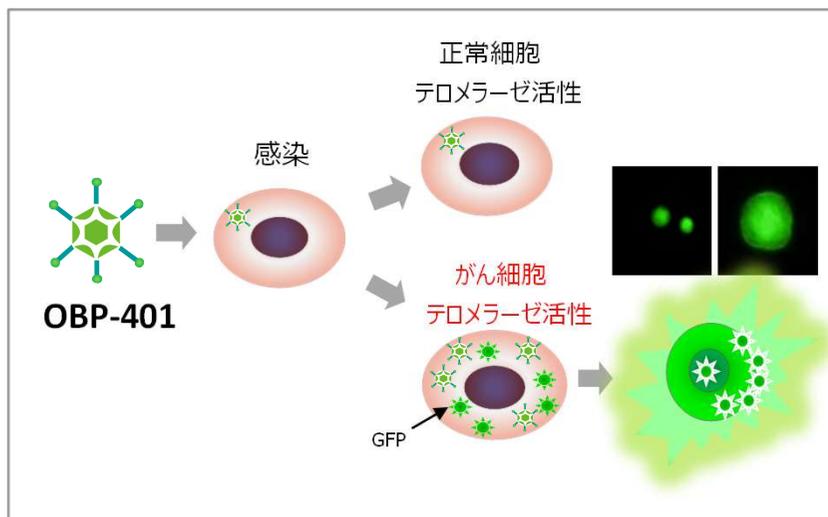
1. 当初は、「検査キットを用いた標準化された検査」と「自動化システムによるハイスループット検出システム」を構築し、医療機関や検査会社へ検査センターとして展開することを想定していましたが、開発進捗が遅れています。
2. 現時点で、検査センター構想の各医療機関への展開時期は未定であり、決定後に開示する方針です。

## 現在のがん検査の課題

1. 既存のがん検査法である遺伝子検査やがんマーカーは感度が低い
2. より低侵襲で高感度のがん検査が求められている

## OBP-401の特長

1. OBP-301と同様に、テロメラーゼ活性の高いがん細胞で増殖する
2. 血中を循環する**生きているがん細胞 (CTC)** を捉えることが可能
3. 採血のみで検査が可能



## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

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) オープアン申請	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、トランスポゾン社の合意が得られた場合に限る。

OBP-301

1 先駆け総合評価相談を開始

達成

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 					
	ALS※2	 					
	アルツハイマー病						
	AGS※3						
OBP-702	すい臓がん						
OBP-2011	ウイルス感染症						
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：アイカルディ・ゴーティエ症候群

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

[https://www.oncolys.com/jp/ir\\_mail.html](https://www.oncolys.com/jp/ir_mail.html)



## 1. 会社概要

## 2. 開発パイプライン

- ① OBP-301 : 腫瘍溶解ウイルス
- ② OBP-601 : 神経難病治療薬
- ③ OBP-702 : 次世代腫瘍溶解ウイルス
- ④ OBP-2011 : ウイルス感染症治療薬
- ⑤ OBP-401

## 3. 今後の見通し

## 4. リスク情報

# リスク情報 (1)

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>ライセンス契約は、研究開発データに基づき締結されま す。そのため、有効な治療薬が無い感染症等のパンデミ ックが発生し医療現場が逼迫した場合など、研究開発に 遅れが生じた場合には、当社業績に影響を与える可能性 があります。</p>	中	中 〜 高	<p>治験担当医との積極的な情報交換や医療関係者を集め た研究会の開催により、研究開発の遅れを最小限に留 める様に努めています。また、外部委託先との契約を 見直すことで、製造工程の遅延圧縮に努めています。 これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を 目指しています。</p>
<p>医薬品等の研究開発費は多額であり、その期間も長期間 にわたります。また、安全性・有効性の評価に問題が生 じた場合は、開発の大幅な遅延や開発中止の可能性があ ります。医薬品等の開発の遅れや中止は、当社の業績に 影響を与える可能性があります。</p>	中	高	<p>安全性や有効性の評価を確実なものにするため、「科 学評価顧問等のネットワークを最大限活用したパイプ ラインの客観的な評価」、「非臨床・前臨床段階にお ける適正な安全性や有効性の検証」、「PMDAやFDAな どの監督官庁との情報交換」などを通じて、可能な限 り早期にパイプラインの安全性や有効性のデータ収集 に努めています。これらの活動に努めることで、リス ク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社のライセンスビジネスは、知的財産権が根幹になり ます。現時点で、知的財産権に関する係争や他社特許へ の抵触は生じていませんが、そのような事態が生じた場 合には当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	低	中 〜 高	<p>社内に知的財産権の専任担当者を設置した上で、顧問 弁護士や弁理士との連携をもって可能な限りリスクの 発生を軽減する体制を築いています。また、特許譲受 契約やライセンス契約により、正当に事業を展開でき る体制を築いています。これらの活動に努めることで、 リスク顕在化の防止を目指しています。</p>

## リスク情報 (2)

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>当社は、ライセンス契約に基づき、契約先の開発進展に連動して収入を得ます。また、ライセンス契約は、独占的な契約になる可能性があります。そのため、ライセンス契約先の戦略変更は、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中 ～ 高	<p>ライセンス契約前には候補企業の戦略やニーズを考慮し、ライセンス契約先を選定しています。また、ライセンス契約締結後は、ライセンス契約先とステアリング・コミッティーを開催しコミュニケーションを活発にすることで、ライセンス契約先の開発計画の把握に努めています。ライセンス契約が解約になるリスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社の将来収入の中心を販売ロイヤリティ収入が占めることを想定していますが、同収入は上市後に設定する薬価に依存します。そのため、上市後の薬価設定は、将来の当社業績に影響を与える可能性があります。なお、現時点で当社は上市した製品を保有していません。</p>	中 ～ 高	中	<p>ライセンス契約先とのステアリング・コミッティーの開催を通じて、薬価交渉に必要な情報の提供に努めていきます。また、常にバックアップパイプラインを確保することで、単一のパイプラインの薬価動向に依存しない体制を築いています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社のパイプラインは、他社の競合品と異なる適応を目標にして差別化を図っていますが、競合や技術革新により差別化を維持できない場合、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中 ～ 高	中	<p>常に最新の技術情報の収集・集積に努めると共に、新規パイプラインの拡充に努めることで、差別化の維持を図っています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。また、開発スピードの向上を図り、ファースト・イン・クラスの取得を目指します。</p>

## リスク情報 (3)

リスク概要	発生可能性	影響度	対応方針
<p>当社の事業は、創業者である浦田泰生の製薬会社での経験・知識に基づく研究開発や事業開発戦略に依存しています。企業理念や経営戦略の浸透、後継者育成によりリスク分散に努めていますが、円滑な事業承継が出来ない場合には、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>創業者自ら現場に脚を運び、直接コミュニケーションを取ることで、企業理念や経営戦略の浸透に努めています。また、プロジェクトリーダーを任命し、積極的な人材育成に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>
<p>当社は小規模組織であり、社内における管理体制もこの規模に応じたものになっています。当社は業務上必要な人員の増員・育成等を図っていく方針です。しかし、人材流出が生じ代替要員の不在等の問題が生じた場合には、当社業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>役職員個々の自発的な成長こそが当社成長を支える要素です。その実現のため、人材の採用・育成を積極的に推進すると共に、社内外ネットワークを活用し、確かな技術・能力・成長意欲のある人材採用を行います。更に、OJTや各種研修プログラムによる人材育成を行うことで、陣容の充実を図ります。</p>
<p>当社は統括的なプロジェクトマネジメント能力を有する人材を重点的に確保し、将来当社を担う人材の育成に注力しています。しかし、人材育成が円滑に進まない場合や各部門で中心的な役割を担う特定の従業員が万一社外に流出した場合は、当社の業績に影響を与える可能性があります。</p>	中	中	<p>社内外での研修実施に努めると共に、譲渡制限付株式やストックオプションなどのインセンティブ制度を導入して、人材の定着に努めています。これらの活動に努めることで、リスク顕在化の防止を目指しています。</p>

その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

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。



*Powering Future Oncotherapy*

—— Oncolys BioPharma

**“Powering Future Oncotherapy”**

**未来のがん治療にパワーを！**