



2025年12月期 第2四半期（中間期）決算短信〔日本基準〕（非連結）

2025年8月8日

東

上場会社名 オンコリスバイオフーマ株式会社 上場取引所
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
半期報告書提出予定日 2025年8月8日 配当支払開始予定日 —
決算補足説明資料作成の有無 : 無
決算説明会開催の有無 : 有（アナリスト向け）

（百万円未満切捨て）

1. 2025年12月期第2四半期（中間期）の業績（2025年1月1日～2025年6月30日）

（1）経営成績（累計）

（%表示は、対前年同中間期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		中間純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2025年12月期中間期	28	△9.0	△1,267	—	△1,311	—	△1,313	—
2024年12月期中間期	31	△50.2	△793	—	△752	—	△754	—
	1株当たり 中間純利益		潜在株式調整後 1株当たり 中間純利益					
	円 銭		円 銭					
2025年12月期中間期	△52.85		—					
2024年12月期中間期	△36.96		—					

（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月期中間期	1,932	1,438	74.1
2024年12月期	3,198	2,752	85.8

（参考）自己資本 2025年12月期中間期 1,431百万円 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	—	0.00	—	0.00	0.00
2025年12月期	—	0.00			
2025年12月期（予想）			—	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) 中間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月期中間期	24,961,600株	2024年12月期	24,961,600株
② 期末自己株式数	2025年12月期中間期	114,238株	2024年12月期	101,238株
③ 期中平均株式数（中間期）	2025年12月期中間期	24,849,129株	2024年12月期中間期	20,421,423株

※ 第2四半期（中間期）決算短信は公認会計士又は監査法人のレビューの対象外です

※ 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. 中間財務諸表及び主な注記	3
(1) 中間貸借対照表	3
(2) 中間損益計算書	5
(3) 中間キャッシュ・フロー計算書	6
(4) 中間財務諸表に関する注記事項	7
(継続企業の前提に関する注記)	7
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	7
(セグメント情報等)	7
(収益認識関係)	7
(重要な後発事象)	8
3. 補足情報	10
(1) 研究開発活動	10

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

当中間会計期間(2025年1月1日～2025年6月30日)における日本経済は、アメリカのトランプ政権の関税政策の影響を受ける自動車をはじめ、輸出に関連する業種の景気判断の悪化が2025年7月の日銀短観で示されるなど、先行きの不透明感は高まっています。また、海外経済においても米国の政策動向などの政治的要因に加えて、中東の不透明感の継続など海外経済の不安定な状況は、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、がんのウイルス療法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。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。

当中間会計期間の業績は、売上高28,546千円(前年同期は売上高31,384千円)、営業損失1,267,127千円(前年同期は営業損失793,371千円)となりました。また、営業外収益として、受取利息1,824千円を、営業外費用として支払利息2,289千円、譲渡制限付株式報酬償却5,030千円、為替差損39,061千円等を計上した結果、経常損失1,311,654千円(前年同期は経常損失752,997千円)になり、中間純損失1,313,230千円(前年同期は中間純損失754,868千円)となりました。

（2）財政状態に関する説明

当中間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1,932,328千円(前事業年度末比39.6%減)となりました。負債は、未払金の増加等により493,349千円(前事業年度末比10.5%増)となりました。純資産は、中間純損失等により1,438,978千円(前事業年度末比47.7%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、開示を控えさせていただきます。

2. 中間財務諸表及び主な注記

（1）中間貸借対照表

（単位：千円）

	前事業年度 (2024年12月31日)	当中間会計期間 (2025年6月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	2,411,001	1,387,607
売掛金	—	28,962
貯蔵品	4,578	4,659
前払金	480,969	154,781
前払費用	53,448	56,965
未収入金	102,417	189,335
未収消費税等	45,829	18,371
関係会社短期貸付金	—	28,962
流動資産合計	3,098,244	1,869,644
固定資産		
有形固定資産		
建物	3,128	4,050
減価償却累計額	△3,128	△3,180
建物（純額）	—	869
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	67,975
減価償却累計額	△67,782	△67,782
工具、器具及び備品（純額）	—	192
有形固定資産合計	—	1,062
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	14,481
敷金及び保証金	22,174	26,100
長期前払費用	9,955	—
その他	4	4
投資その他の資産合計	100,614	61,621
固定資産合計	100,614	62,683
資産合計	3,198,858	1,932,328

（単位：千円）

	前事業年度 (2024年12月31日)	当中間会計期間 (2025年6月30日)
負債の部		
流動負債		
短期借入金	127,776	147,222
リース債務	10,177	10,243
未払金	52,287	80,521
未払費用	20,451	19,068
未払法人税等	31,885	8,695
預り金	9,812	9,899
流動負債合計	252,390	275,650
固定負債		
長期借入金	166,656	194,436
リース債務	20,031	14,893
退職給付引当金	7,570	8,369
固定負債合計	194,258	217,698
負債合計	446,649	493,349
純資産の部		
株主資本		
資本金	5,108,160	2,744,671
資本剰余金		
資本準備金	2,694,489	—
資本剰余金合計	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	△1,313,230
利益剰余金合計	△5,057,978	△1,313,230
自己株式	△142	△142
株主資本合計	2,744,529	1,431,298
新株予約権	7,680	7,680
純資産合計	2,752,209	1,438,978
負債純資産合計	3,198,858	1,932,328

（２）中間損益計算書

	(単位：千円)	
	前中間会計期間 (自 2024年1月1日 至 2024年6月30日)	当中間会計期間 (自 2025年1月1日 至 2025年6月30日)
売上高	31,384	28,546
売上原価	—	—
売上総利益	31,384	28,546
販売費及び一般管理費	824,755	1,295,673
営業損失（△）	△793,371	△1,267,127
営業外収益		
受取利息	1,047	1,824
受取配当金	5	3
為替差益	48,518	—
その他	22	27
営業外収益合計	49,593	1,854
営業外費用		
支払利息	2,185	2,289
譲渡制限付株式報酬償却	2,183	5,030
為替差損	—	39,061
新株予約権発行費	2,310	—
株式交付費	2,466	—
その他	73	—
営業外費用合計	9,219	46,381
経常損失（△）	△752,997	△1,311,654
税引前中間純損失（△）	△752,997	△1,311,654
法人税、住民税及び事業税	1,871	1,576
法人税等合計	1,871	1,576
中間純損失（△）	△754,868	△1,313,230

（３）中間キャッシュ・フロー計算書

（単位：千円）

	前中間会計期間 （自 2024年1月1日 至 2024年6月30日）	当中間会計期間 （自 2025年1月1日 至 2025年6月30日）
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税引前中間純損失（△）	△752,997	△1,311,654
減価償却費	—	52
譲渡制限付株式報酬償却	2,183	5,030
株式報酬費用	6,862	10,308
退職給付引当金の増減額（△は減少）	△1,109	798
受取利息及び受取配当金	△1,052	△1,827
支払利息	2,185	2,289
新株予約権発行費	2,310	—
株式交付費	2,466	—
為替差損益（△は益）	△29,522	27,344
売上債権の増減額（△は増加）	△32,206	△28,962
棚卸資産の増減額（△は増加）	1,064	△81
前払費用の増減額（△は増加）	△8,607	△8,446
未収入金の増減額（△は増加）	△82,953	△86,074
未収消費税等の増減額（△は増加）	27,981	27,457
前払金の増減額（△は増加）	△107,125	326,188
未払金の増減額（△は減少）	△147,462	28,233
その他	△1,406	△22,201
小計	△1,119,389	△1,031,542
利息及び配当金の受取額	25	859
利息の支払額	△1,862	△2,744
法人税等の支払額	△2,927	△3,861
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,124,153	△1,037,289
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	—	△1,114
敷金及び保証金の差入による支出	△1,424	△3,925
敷金及び保証金の回収による収入	240	—
投資活動によるキャッシュ・フロー	△1,184	△5,040
財務活動によるキャッシュ・フロー		
長期借入れによる収入	100,000	100,000
長期借入金の返済による支出	△44,440	△52,774
リース債務の返済による支出	△4,929	△5,072
株式の発行による収入	638,294	—
株式の発行による支出	△2,466	—
財務活動によるキャッシュ・フロー	686,458	42,153
現金及び現金同等物に係る換算差額	23,573	△23,217
現金及び現金同等物の増減額（△は減少）	△415,305	△1,023,393
現金及び現金同等物の期首残高	1,287,763	2,165,918
現金及び現金同等物の中間期末残高	872,457	1,142,525

（４）中間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。

（株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記）

当社は、2025年3月27日開催の定時株主総会の決議に基づき、2025年5月31日付で減資の効力が発生し、資本金2,363,488千円、資本準備金2,694,489千円を減少させ、その他資本剰余金に振替えております。その上で、その他資本剰余金5,057,978千円を全額減少させ、繰越利益剰余金に振替え、欠損填補に充当しております。この結果、当中間会計期間末において資本金が2,744,671千円、資本準備金が0円となっております。

（セグメント情報等）

【セグメント情報】

I 前中間会計期間（自 2024年1月1日 至 2024年6月30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 当中間会計期間（自 2025年1月1日 至 2025年6月30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）

	前中間会計期間 （自 2024年1月1日 至 2024年6月30日）	当中間会計期間 （自 2025年1月1日 至 2025年6月30日）
一時点で移転される財又はサービス	31,384	28,546
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	31,384	28,546
その他の収益	—	—
外部顧客への売上高	31,384	28,546

（重要な後発事象）

1. 譲渡制限付株式報酬としての自己株式の処分

当社は、2025年6月13日開催の取締役会において、譲渡制限付株式報酬として当社の取締役2名（社外取締役を除きます。）及び執行役員及び使用人35名（以下、総称して「割当対象者」といいます。）に対し、金銭報酬債権合計63,447,500円を支給し、割当対象者が当該金銭報酬債権の全部を現物出資の方法によって給付することにより、特定譲渡制限付株式として当社普通株式102,500株を割り当てることを決議いたしました。払込期日までに1名が失権したため以下のとおり2025年7月2日に払込手続きが完了いたしました。

処分の概要

（1）払込期日	2025年7月2日
（2）処分する株式の種類及び数	当社普通株式 101,600株
（3）処分価額	1株につき619円
（4）処分価額の総額	62,890,400円
（5）処分先及びその人数並びに処分株式の数	当社の取締役 2名 27,000株 当社の執行役員及び使用人 34名 74,600株

処分の目的及び理由

当社は、当社の取締役（社外取締役を除きます。）、執行役員及び使用人が株価変動のメリットとリスクを株主の皆様と共有し、株価上昇及び企業価値向上への貢献意欲を従来以上に高めることを目的として、譲渡制限付株式を交付する株式報酬制度（以下、「本制度」といいます。）を導入しております。なお、割当対象者が株価変動のメリットとデメリットを株主の皆様と共有し、株価上昇及び企業価値向上への貢献意欲を従来以上に高めるという本制度の導入目的の実現を目指すため、2年超の譲渡制限期間を設けております。

2. 第三者割当による第21回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行

当社は2025年7月18日開催の取締役会において、S M B C日興証券株式会社（以下「S M B C日興証券」又は「割当予定先」といいます。）を割当予定先として第三者割当により新株予約権（行使価額修正条項付）（以下「本新株予約権」といいます。）を発行することを決議し、2025年8月4日に発行価額の全額の払込が完了したことを確認いたしました。

第三者割当による第21回新株予約権（行使価額修正条項付）の概要

割当日	2025年8月4日
発行新株予約権数	43,300個
目的たる株式の種類及び数	新株予約権1個当たり当社普通株式100株
発行価額	本新株予約権1個当たり920円（総額39,836,000円）
当該発行による潜在株式数	潜在株式数：4,330,000株 上限行使価額はありません。 下限行使価額は312円ですが、下限行使価額においても、潜在株式数は、4,330,000株です。
資金調達額	2,729,426,000円（差引手取概算額）（注）
行使価額及び行使価額の修正条件	当初行使価額623円 行使価額は、本新株予約権の各行使請求の効力発生日に、当該効力発生日の直前取引日の株式会社東京証券取引所における当社普通株式の普通取引の終値の91%に相当する金額に修正されますが、かかる修正後の価額が下限行使価額を下回る場合には、下限行使価額を修正後の行使価額とします。
新株予約権の行使により株式を発行する場合の増加する資本金及び資本準備金	本新株予約権の行使により普通株式を発行する場合の増加する資本金の額は、会社計算規則第17条の定めるところに従って算定された資本金等増加限度額に0.5を乗じた金額とし、計算の結果1円未満の端数が生じる場合はその端数を切り上げた額とします。増加する資本準備金の額は、資本金等増加限度額より増加する資本金の額を減じた額とします。
募集又は割当方法	第三者割当の方法によります。

割当先	SMBC日興証券	
行使可能期間	2025年8月5日から2026年8月4日	
資金使途	具体的な使途	金額 (百万円)
	① OBP-301の販売開始後に必要な製造・販売・流通に関する支出	876
	② OBP-301の初回承認以外への適応拡大に関する支出	767
	③ OBP-301の販売開始後に必要な製造販売後調査等に関する支出	1,086
	合 計	2,729
その他	当社は、SMBC日興証券との間で、金融商品取引法に基づく届出の効力発生後に、本新株予約権の買取に関する契約（以下「本新株予約権買取契約」といいます。）を締結しました。本新株予約権買取契約において、SMBC日興証券は、当社の事前の同意がない限り、本新株予約権を当社以外の第三者に譲渡することができない旨が定められております。	

(注) 調達資金の額は、本新株予約権の払込金額の総額及び本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額を合算した金額から、本新株予約権に係る発行諸費用の概算額を差し引いた金額です。なお、本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額は、当初行使価額で全ての本新株予約権が行使されたと仮定した場合の金額であります。そのため、本新株予約権の行使価額が修正又は調整された場合には、調達資金の額は増加又は減少します。また、行使可能期間内に行使が行われない場合又は当社が取得した本新株予約権を消却した場合には、調達資金の額は減少します。

3. 新株予約権の行使による増資

2025年8月5日以降、2025年8月6日までの間に、第21回新株予約権の一部について以下のとおり権利行使が行われております。

(1) 発行した株式の種類及び株式数	普通株式 28,000株
(2) 行使新株予約権個数	280個
(3) 行使価額総額	15,086千円
(4) 増加した資本金の額	7,672千円
(5) 増加した資本準備金の額	7,672千円

(注) 1. (4)資本金増加額及び(5)資本準備金増加額には、新株予約権の振替額128千円がそれぞれ含まれております。

2. 上記の新株予約権の行使による新株の発行の結果、2025年8月6日現在の発行済株式総数は24,989,600株、資本金は2,752,343千円、資本準備金は7,672千円となっております。

3. 補足情報

（1）研究開発活動

当社の当中間会計期間における創薬事業の研究開発費は、1,017,169千円となりました。なお、当中間会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6月30日現在、研究開発部門は24名在籍しており、これは総従業員数の58.54%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させ、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OBP-301の「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、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進めています。先駆け総合評価相談は順調に進んでおり、「臨床」・「非臨床」・「品質」・「GCTP」・「信頼性」のそれぞれの区分で、OBP-301は承認申請可能であるとPMDAが判断した書類である「申請確認文書」を、2025年12月期第3四半期から区分ごとに受領する見込みであり、2025年12月期第4四半期にOBP-301を食道がん治療再生医療等製品として承認申請する計画です。

国内ビジネス面では、2024年2月に富士フイルム富山化学株式会社（以下、「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国内でOBP-301の保管などを担う三井倉庫ホールディングス株式会社（以下、「三井倉庫HD」）を経て、医療機関に至るサプライチェーンの整備を進めています。また、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。さらに、2025年4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を日本で成立させました。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とペムプ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。同契約に基づき、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して、本臨床試験を進めています。

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月の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。2025年後半に、本医師主導治験の1年生存率の結果が確認できる見込みです。

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。

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んでいます。

- 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）

i-a) 研究開発活動

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か所の治験が行われ、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、以下の試験結果が発表されました。

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効率は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、局所奏効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。

当社は、上記の結果をもって、2025年3月にPMDAと先駆け総合評価相談を開始しました。2025年12月期にOBP-301の承認申請を行う計画です。

なお、2025年7月にスペインで開催されたESMO-GI 2025（欧州臨床腫瘍学会 消化器がん総会）では、国立がん研究センター中央病院 加藤健先生などの調査として、「国内12施設で2014年～2023年に、放射線治療だけを行ったステージⅡ/Ⅲの食道がん患者のL-CR率は22%であった」と報告されています。

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。当社は各パートナーとともに、OBP-301のサプライチェーンの整備に努めています。また、OBP-301の販売に必要な再生医療等製品製造販売業者の業許可を、2025年4月に取得しました。

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。2025年12月期第4四半期に凝集体を発生させない新処方によって、原薬を各バイアルへ充填して製剤化を完了させます。製剤の安定性に関しては、凝集体を発生させない新処方では製剤化後9カ月の安定性を得ていることを既に確認しています。

包装・保管及び輸送の物流業務を委託している三井倉庫HD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HD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、OBP-301の出荷試験の準備を進めています。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。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を進めていきます。

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。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（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）」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、共同開発体制を構築しました。

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。本医師主導治験の1年生存率の結果は、2025年後半に確認できる見込みです。

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、次相の臨床試験の準備を進めています。また、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。なお、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臨床試験の優先順位を引き下げました。

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 Phase3臨床試験

PSPを対象としたPhase2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) ALS Phase2/3臨床試験

C9ALS/FTDを対象としたPhase2臨床試験は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、本試験の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。また、上記の

臨床試験結果が評価され、OBP-601はヒーリーALSプラットフォームに採択されました。トランスポゾン社は、ヒーリーALSプラットフォームを活用して、ALSを対象としたPhase2/3臨床試験を2025年に開始する計画です。

iii) アルツハイマー病Phase 2 臨床試験

現在トランスポゾン社は、PSPとALSのPhase 2 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Phase 2 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及び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。

上記の臨床試験結果が評価され、Alzheimer's Drug Discovery Foundation（アルツハイマー病創薬財団、以下「ADDF」）からOBP-601がアルツハイマー病治療に対して有望であると判断され、トランスポゾン社はADDFから約5百万ドルの投資を受けることになりました。トランスポゾン社は、同資金を活用してアルツハイマー病に対するPhase2試験を2025年第4四半期に開始する計画です。

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Phase 2 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試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Phase 1 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	Phase 2 終了 (先駆け総合 評価相談)
		放射線化学療法	米国	Phase 1
		抗PD-1抗体ペムブロリズマブ	日本	Phase 1 (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	Phase 2 (終了)
		抗PD-1抗体ペムブロリズマブ (2次治療)	米国	Phase 2
	肝細胞がん	単独療法	韓国・台湾	Phase 1 (終了)
OBP-601 (censavudine)	進行性核上性麻痺 (PSP)	単独療法 (二重盲検)	米国	Phase 2 (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	Phase 2 (Phase2/3準備中)
	アルツハイマー病	未定	米国	Phase 2 準備中
	アイカルディ・ゴーティエ 症候群 (AGS)	単独療法	欧州	Phase 2 (組入れ終了)
OBP-702	すい臓がん	未定	日本	前臨床 (Phase 1 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