

ストボ IR カンファレンス 2024 in 札幌 バイオ関連株特集

実施日時：2024年10月6日（日）

登壇者

代表取締役社長 浦田 泰生

キャスター 櫻井 英明

初めに

この度の個人投資家向け IR セミナーにおける文字起こしの内容は、ステークホルダーの皆さまにとってより理解しやすく、読みやすい形に編集・校正を行っております。意図や意味合いは最大限忠実に再現しながらも、専門用語や口語表現を適切に調整しています。何卒ご理解のほど宜しくお願い申し上げます。

免責事項について

オンコリスバイオフーマ株式会社（以下、「当社」）は、以下に記載の情報についてあらゆる面から細心の注意を払っています。しかしながら、当社は下記に掲載される情報の最新性・有用性・網羅性その他内容についてのいかなる保証も行わないものではありません。また、当社は事前にお知らせすることなく、当社の判断によって公開されている情報の追加、変更、修正、削除、公開中断、公開中止等を行う場合があります。当社は、ご利用者各位が情報の掲載、追加、変更、修正、削除、公開の中断、中止等により生じたいかなる損害についても責任を負うものではありません。下記情報の掲載は、投資勧誘を目的としたものではありません。実際に投資を行う際は、ご利用者各位のご判断で行うようお願い致します。さらに、下記記載の情報のうち、将来的な事項については、事情の変化等により変更されることがありうることをご留意ください。以上の点について、あらかじめご了承ください。



ストボ IR カンファレンス 2024 in 札幌

オンコリスバイオフーマ株式会社（証券コード：4588）
2024年10月6日



Copyright(C) 2024, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

1

代表取締役社長浦田泰生（以下、浦田）

：オンコリスバイオフーマの浦田でございます。よろしくお願いいたします。

会社概要



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	38名（2024年6月30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)

2

キャスター櫻井英明氏（以下、櫻井）

：浦田社長は、小野薬品やJTで医薬品開発のご経歴をお持ちですね。まず、会社の概要をお聞かせください。

浦田：当社は「オンコリスバイオフーマ」と申します。おそらく、あまり聞きなれない名前かと思いますが、「オンコロジー」は「腫瘍学」を意味し、「オンコ」という言葉と「リシス（溶解）」という医学用語を組み合わせた造語で、「オンコリス」としています。これは、腫瘍溶解ウイルスというウイルスを遺伝子改変し、がん細胞だけを殺すもので、正常な細胞にも感染しますが、ほとんど影響を与えません。このウイルスを用いて、厚生労働省の許可を得て臨床試験を進めている会社です。ウイルスががん細胞に感染して、正常細胞を殺さないで、がん細胞だけを殺す仕組みです。

櫻井：ウイルスといえば悪いものだと思っていましたが、必ずしもそうではないんですね。

浦田：悪いウイルスを遺伝子改変して、正しく「教育」することで、人間の役に立つように改変したものです。

櫻井：ウイルスに勉強させるなんて、すごいことをされていますね。

浦田：そうですね、ありがとうございます。

創業者プロフィール



浦田 泰生
1955年10月26日生

1974年	東海高等学校卒業
1983年	京都薬科大学大学院薬学研究所修士課程修了
1983年	小野薬品工業（株）臨床開発部入社 主に循環器・中枢神経領域の臨床PJリーダーを担当
1994年	日本たばこ産業（株）医薬総合研究所入社
1996年	社長表彰 新規抗HIV薬 Viracept の商品化に成功
1999年	同 研究企画部長 Cell Genesys社との遺伝子細胞癌ワクチンGVAX PJや、Corixa社との癌遺伝子ワクチンPJ Ad-L523Sを立ち上げ
2002年	同 研究開発企画部長
2004年	米国Gilead社から導入した抗HIV薬Vilead のPJリーダーを担当 2004年3月に厚生労働省から許可取得
2004年	オンコリスバイオフーマ（株）設立 代表取締役社長
2009年	経済産業省バイオイノベーション研究会委員
2016年	Oncolys USA Inc. 取締役就任

櫻井：ここで、浦田社長のキャリアが出てきますね。

浦田：ご案内の通り、私、愛知県の薬局の倅でございまして、父が93歳まで薬局を営んでいました。1年前に父が亡くなり、その薬局も廃業することになりました。私自身、子供の頃からずっと薬に触れてまいりまして、大学も薬学部、その後、小野薬品に入り、JTの医薬事業部の立ち上げに携わり、ずっと薬の世界で過ごしてまいりました。

がんのウイルス療法

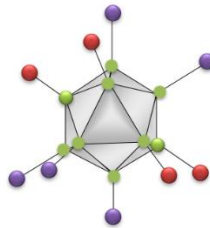
**OBP-301**

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

未来のがん治療に新たな選択肢を！
“がん治療の歴史に私たちの足跡を残したい”

4

櫻井：がんのウイルス療法というのが、御社の強みですね。一言でまとめるとそういうことですか？

浦田：「ウイルス療法」とはあまり聞き慣れないかもしれませんが、ウイルスを使ってがんを殺す治療方法です。当社はがんのウイルス療法だけでなく、ウイルス創薬という研究基盤をもち、ウイルスによりがんを殺すことや、コロナやインフルエンザなどウイルス感染症に対応できる薬の開発を目指しています。そういう意味で、ウイルスに特化した取り組みを行っている会社で、世界的にもあまり例のないモジュールをやっている会社でございます。

櫻井：OBP っていうのは、オンコリスバイオフィーマの頭文字 3 つということですね。

浦田：そういうことです。最初の数字は、いつ頃開発が始まったかを示しています。例えば、OBP-301 は 2003 年に特許が出されて、本格的に開発がスタートしました。

開発品	対象疾患	臨床試験 (治験)				申請承認	提携導出先
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
OBP-301	食道がん	先駆け審査制度指定		Phase 2	Phase 3	Phase 2データで国内承認申請予定	FUJIFILM 富士フイルム 富山化学株式会社 販売提携
		オーファン指定					
	胃がん						
	肝細胞がん						
OBP-601	PSP※1	Fast Track指定			Phase 3計画中		TRANSPONON 導出済
	C9-ALS※2/FTD※3				Phase 3計画中		
	AGS※4						
OBP-2011	ウイルス感染症						
OBP-702	固形がん						
開発品	対象領域	臨床研究		臨床性能試験		申請	承認
テロメスキャン	CTC検出						

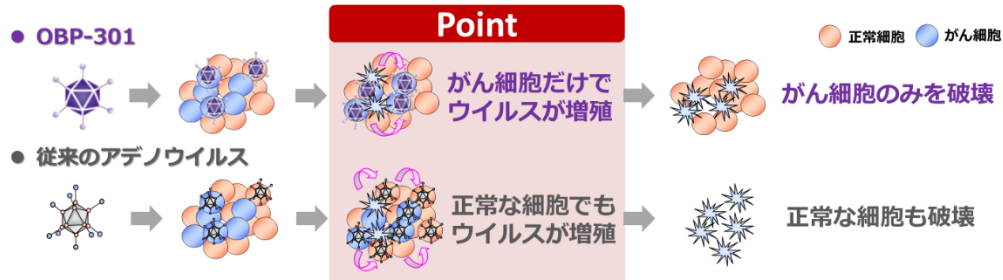
※1：進行性核上性麻痺、 ※2：筋萎縮性側索硬化症、 ※3：前頭側頭型認知症、 ※4：アICALディ・ゴートイ症候群

櫻井：では、パイプラインの状況を教えてください。

浦田：ここにある上の赤線が OBP-301 で、真ん中の青線が OBP-601 です。OBP-301 は、がん細胞を殺す薬で、現在は食道がんを対象にしています。食道がんに関する局所治療薬は世界的に存在していませんが、当社では第 2 相試験を終えて、今、厚生労働省と承認申請に関する書類を提出する前の最後の詰めを行っているところです。また、オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）として治療薬がない領域で指定されれば、優先審査に進むことになると考えています。それ以外に、アメリカでは胃がんが進行中であり、アジアでは肝臓がんを対象に試験を行いました。

次に、真ん中にある OBP-601 ですが、これは飲み薬です。当初は抗エイズ薬として開発しており、2010 年から 2014 年までブリストル・マイヤーズ スクイブ社と提携して非常に良い結果が出ました。しかし、ブリストルが「抗エイズ薬領域の事業は行わない」という経営判断を行ったため、提携は解消されました。その後は、アメリカの研究者たちがこの薬を研究し、筋萎縮性側索硬化症 ALS や進行性核上性麻痺 PSP などの神経難病に効果がある可能性を発見しました。現在、アメリカなどで臨床試験が行われ、興味深い結果が出ています。

1. 食道がんにおける**First-in-Class**の腫瘍溶解性ウイルス治療薬である。
2. “局所コントロール薬”として嚥下障害・食道閉塞等の**QOL改善**が期待できる。
3. 嘔吐・脱毛・造血器障害等の副作用がなく、**治療負荷の軽減**が期待できる。
4. 長時間手術が困難な高齢者、肝腎機能低下により化学療法が困難な患者さまの**治療選択肢が増える**。
5. 食道の温存を希望する患者さまに対し、**がんを切らずに治療**することができる。



7

櫻井：では、まずはその OBP-301 についてご説明をお願いします。

浦田：皆さんも子供の頃に扁桃腺炎にかかったことがあるかと思いますが、その原因となるのがアデノウイルスです。日本人の95%以上がアデノウイルスに感染しており、多くの方が中和抗体を持っています。したがって、当社が開発しているウイルスが感染しても、重い病気になることはありません。ただし、がん細胞に感染させると、がん細胞だけを殺すという性質があります。これを臨床試験で証明しており、正常な細胞にも感染しますがほとんど影響を与えないことが確認されています。

櫻井：これ、すごいですよね。がん細胞だけ殺して、他の細胞にはほとんど影響を与えない。

浦田：ウイルスががん細胞に感染しますので、副作用として挙げるとするならば、ウイルス感染時に熱が出るくらいです。治験の段階でも、半数くらいの患者さまで37～38度の熱が1日から2日続きましたが、それ以外に肝臓や腎臓に影響が出るような副作用は全く見られませんでした。

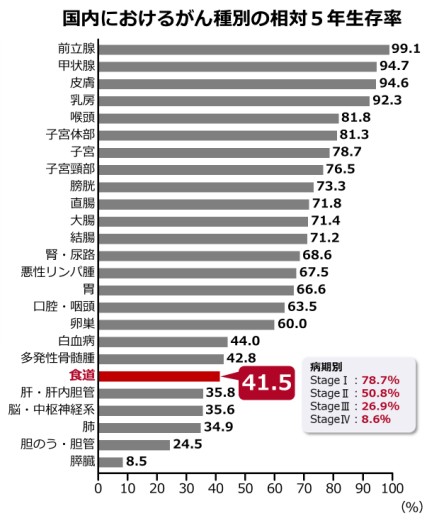
櫻井：熱は出るけれど、その間にウイルスががん細胞を破壊してくれるんですね。

浦田：その通りです。

櫻井：社長がいつもおっしゃっている、「食道がんを切らずに治す」というのがここでポイントですよ。夢のような話です。

- QOL低下** 喉のつかえによる栄養障害が起きる
- 長時間の手術** 食道がんの手術は長時間（8-10時間）
- 合併症** 逆流性食道炎や誤嚥等のリスクが高まる
- 局所薬の不在** 今ある薬剤では、がんを縮小させる効果が弱い
- 副作用** 化学療法では吐き気など重い副作用が起こる
- 高齢化** 肝臓や腎機が悪いと化学療法の選択が難しい

● 患者QOLの改善につながる新規治療法の開発が必要



※出所：「CANCER TOMORROW (2020)」公開情報を基に当社作成 ※右図出所：「全国がん罹患モニタリング集計 2009-2011年生存率報告 (国立研究開発法人国立がん研究センターがん対策情報センター、2020) 独立行政法人国立がん研究センターがん研究開発費『地域がん登録精度向上と活用に関する研究』平成22年度報告書」[がん情報サービス]を基に当社作成 8

浦田：はい。皆さんの中にも、お身内で食道がんをご経験された方がいらっしゃるかもしれませんが、食道がんの手術は非常に大変です。あばら骨の奥に食道があるわけですが、あばら骨を切り開き、食道がんを取り除き、胃袋を引き上げて縫い合わせ、血管も縫い直すような大手術です。手術時間は8～10時間ほどかかり、高齢の方の中には耐えられないという方が沢山いらっしゃいます。特に、高齢化が進む中、70代や80代以降で食道がん罹患する方が増えています。そういう方々はご飯が食べられなくなり、放置すると肝臓や肺に転移し、最終的には大変苦しんで亡くなることもあります。しかし、このウイルス治療では、手術をせずに2週間に1回、内視鏡で針を通してウイルスを感染させることにより、半数の患者様でがんが完全に消えるという臨床試験の結果が出ています。

櫻井：これは、ウイルスが血流に乗って、癌に向かっていくと考えてよいのでしょうか。

浦田：いえ、ウイルスが全身に広がるという意味ではございません。内視鏡を使って食道のがん部位に5か所ほど注射します。これを2週間ごとに3回行います。

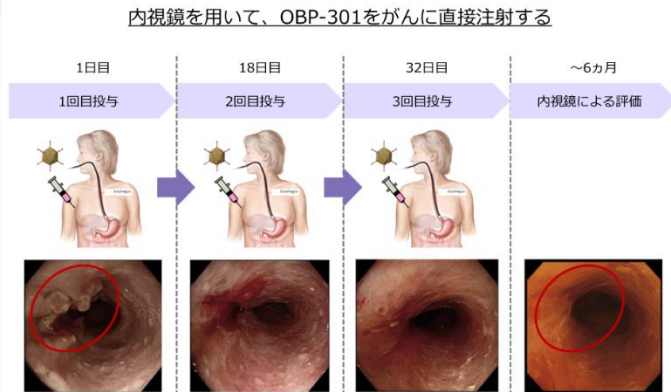
対象患者

局所進行性食道がん患者Stage2~3のうち、
“根治的食道切除術の対象にならない患者”
 及び
“根治的化学放射線療法の対象にならない患者”

※対象症例の75%が80歳以上の高齢者であった

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



櫻井：この写真ですね。カテーテルで注入している様子が見えます。

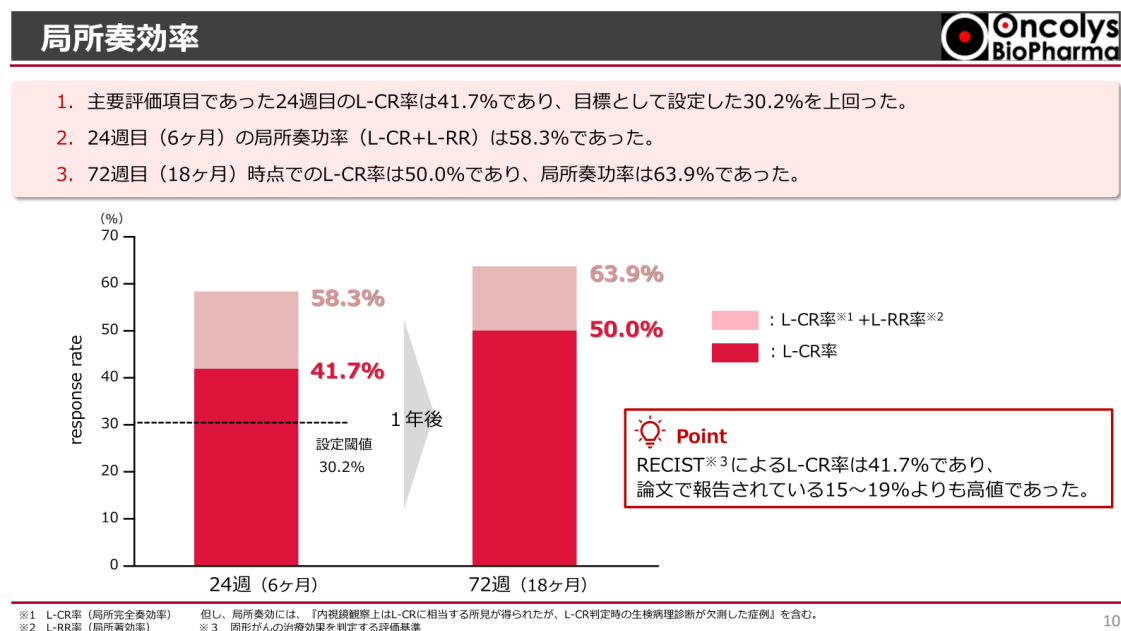
浦田：はい、写真では少しわかりにくいかもしれませんが、かなり大きながんがあって、食事ができなくなり、体重もどんどん減っていく患者様がいました。その方に3回ウイルスを投与し、同時に放射線治療も行いました。今回の臨床試験に参加された患者様の中には、抗がん剤治療は嫌だと考えられている方もおり、吐き気や脱毛、神経のしびれなどに耐えられない、と放射線治療を希望された方が多くいました。放射線治療は1日30分ほどベッドに横たわるだけで、痛みもなく、ただ食道に軽い炎症が出る程度です。こうした治療と併用して、2週間に1回、食道がんウイルスを注射します。医師から聞いたのですが、ウイルスを注射する際のチクチクはそれほど痛くなくて、内視鏡を大体5分か10分くらい入れていると治療が終わります。3ヶ月後に内視鏡で確認したところ、半数の患者様のがんがツルツルに消えていたという結果が出ています。

櫻井：右のカレンダーを見ると、毎日放射線を当てているのはグレーの部分ですね。

浦田：その通りです。月曜日から金曜日までの間です。

櫻井：赤い部分は、ウイルスを投与することを示している、と。これは2週間に1回ですね。患者さんの負担が全然違いますよね。

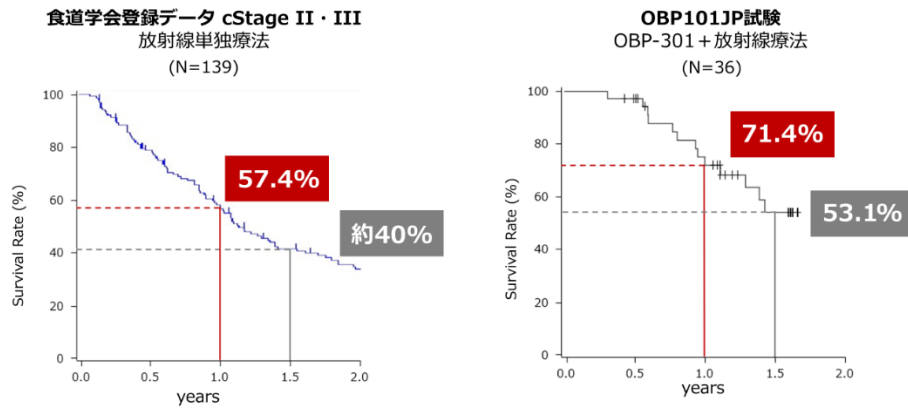
浦田：最近の内視鏡はどんどん進化して、細くなってきていますので、昔のように太いものを使うわけではなく、随分楽になったと聞いています。



櫻井：そして、局所の奏効率についてですが、これがそのデータですね。

浦田：そうですね。これだけではわかりにくいかもしれませんが、私たちは治験を始めてから6ヶ月後に、どのくらい効果があったかを調べました。左側の41.7%というのは、放射線治療のみの場合、大体25~30%の方がきれいになると言われていますが、私たちの治療では、半年後に41%の効果が見られました。それから、1年半経った時に再度内視鏡で確認したところ、大体50%の方が改善されました。また、放射線炎のようなケロイドが残っているものの、がんがないと確認された方を含めると、64%の方で内視鏡的にがんがツルツルに消えているという結果が得られています。これだけではなく、では患者さんはその後、ちゃんと生存できていたのかという点について、結果は次です。

OBP-301と放射線を併用することにより、食道学会に登録されている放射線単独療法の生存率を上回った。



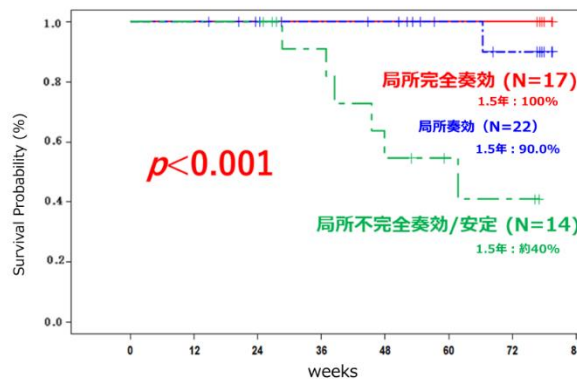
11

櫻井：生存率はよく理解しておかないと、ちょっと難しいところがありますよね。

浦田：左側の図には 57.4% というデータがあります。これは大体 1 年後のもので、昔、食道学会で取ったデータです。1 年半から 2 年経つと、約 40%の方が生存されています。一方で、私たちの 71%と 53%という生存率には、合併症で亡くなった方も含まれています。例えば、肺に問題が起きたり、他には交通事故に遭ったりした方もいます。

がん関連生存率 Cancer-specific survival

1. 局所奏功例のがん関連生存率は90%となった。
2. OBP-301による食道がんへの局所の奏功が患者の生存率を高めた可能性が示唆された。



12

浦田：次のデータでは、食道がんが進行して亡くなった方の生存率が示されています。緑色の部分、少し見えにくいですが、下にある点線はあまり効果がなかった方のもので、早く亡くなってしまいます。しかし、治療がちゃんと効いた方に関しては、1年半後の生存率が90%という結果が出ており、私たちとしては予想以上の成果だったと考えています。局所のがんを消すことによって、長生きできるという結果が得られました。

櫻井：さっきの57.4%と71.4%には大きな違いがあると見てよいのでしょうか。

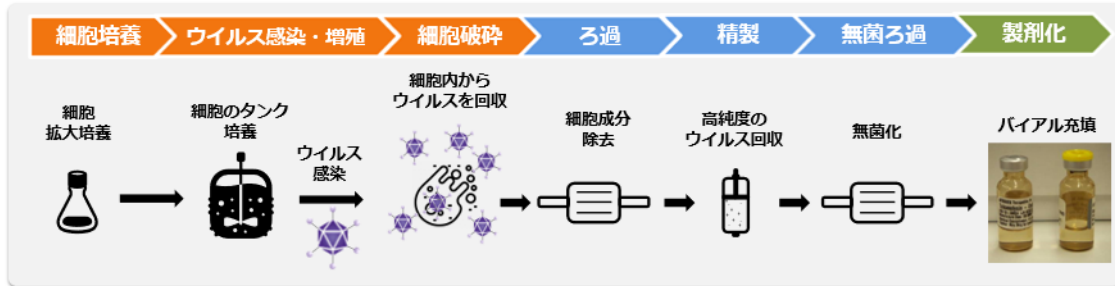
浦田：我々はそう見ております。50%と70%はそんなに変わらないのでは、考えられる方もいらっしゃるかもしれませんが。実際に肺炎で亡くなった方や心臓が悪くなりお亡くなりになった方がいらっしゃいますが、これは薬や食道癌とは関係のない、他の要因で亡くなった方です。それを除外すると、90%の生存率が得られます。

櫻井：バイオベンチャーのデータにはこうしたものが多いですが、グラフを見てもその意味がよくわからないことがありますよね。だから、この70%というのは効いているということですね。

浦田：そうですね。食道がんの5年生存率は、いろんながんの中で下から4番目という非常に低い数字です。今回の対象となった方々はステージⅡ、Ⅲと比較的進行した方ばかりでしたので、意義は非常に大きかったと思います。

櫻井：この高い生存率が得られることで、その間に新しい薬が登場するかもしれません。やはり延命というのは非常に重要なことですね。

浦田：そうですね、元気な状態で延命されるということが非常に重要でありまして、フラフラの状況で延命ということではなく、今回、我々の治験の患者さまもちゃんとご飯を食べられるようになって、普段の生活ができるようになったという延命でございます。



1. 原薬に関しては製造バリデーションが完了している。
2. ウイルス由来の凝集体の発生原因を究明し、PMDAと事前相談を実施している。
3. 凝集体を発生させない新製剤の処方完成している。

櫻井：製造開発について、どのようにお考えですか？

浦田：現在、残念ながら国内では製造できる状況にないため、ベルギーの会社に依頼して製造してもらっています。それを日本国内に持ち込み、三井倉庫さんと提携して、箱詰めを行い、すぐに病院に届けられる体制を整えています。

サプライチェーンの始動



今後の見通し

- OBP-301を医療現場へ適正流通させるため、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始動する。
- ① 安全性情報に関する契約 ② 製品供給契約 ③ 品質契約 ④ 市販後全例調査に関する契約など

櫻井：ベルギーで行っているんですね。サプライチェーンについても、三井倉庫さんの話が出ましたが、彼らは温度管理など得意ですね。

浦田：慣れておられますし、我々のような新しい医薬品をちゃんとデリバーするような新たな取り組みを行っていききたいという背景があって契約しております。

櫻井：販売に関しては、富士フイルム富山化学さんが関与していますね。そこから、医薬品の卸業者もあって、最終的に患者さんのもとに届く形になると。

浦田：そうですね。卸業者については、富士フイルム富山化学さんがまだ最終決定をしていないと思いますが、我々は物流をコントロールする立場から、非常に複雑な医薬品の流通を首尾一貫して行える体制ができ上がってきています。

櫻井：浦田社長、ここまで準備を進めてこられたということは、やはりそろそろいろんなものが必要になってくると、社長は感じているのでしょうか？

浦田：はい、私は命がけで絶対に薬にしようと考えています。

櫻井：ここまで準備しないと薬の開発はできないということですね。

浦田：はい。承認申請を行う際には、こうした体制が整っていることを厚生労働省に示さなければ、承認を得ることはできません。

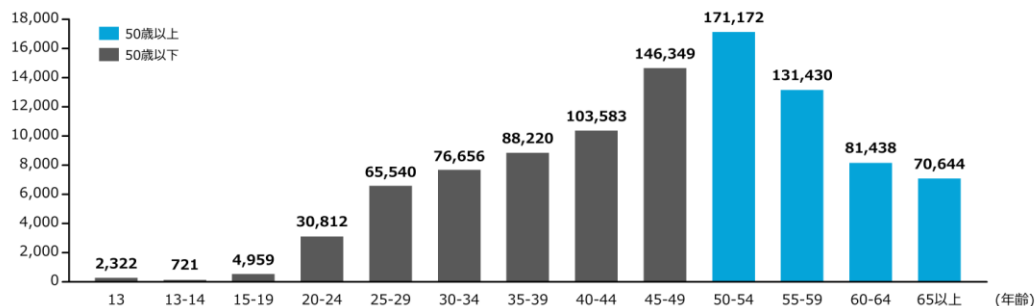
櫻井：食道がんを切らずに治すことを頑張っている、と。それでは、OBP-601の話に移りましょう。神経に関連するものですね。

神経変性疾患治療薬としての開発着眼点



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

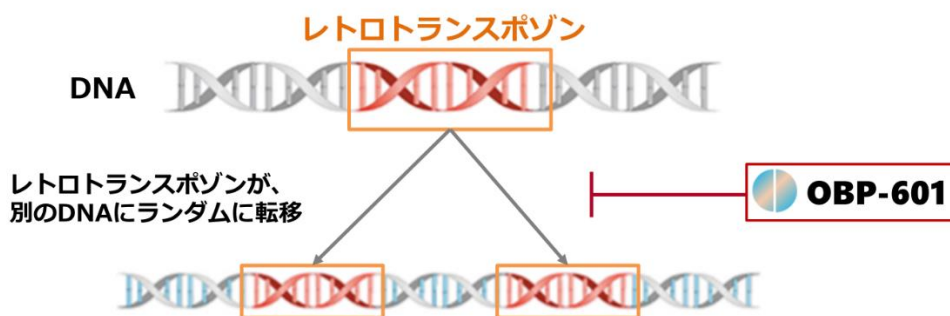


浦田：そうですね。最初に抗エイズ薬の治療が神経難病に応用されるというお話をしましたが、なぜそのような発想が生まれたかと言いますと、ここにグラフがあります。ちょっとわかりにくいかもしれませんが、これはアメリカで実施した疫学調査の結果です。エイズは1970年代に発見された免疫不全症で、一度かかると生涯にわたって薬を飲み続けなければならない病気です。おそらく30年以上にわたってフォローされていますが、グラフを見ていただくと、エイズ患者でアルツハイマー病になった方の数が示されています。特に、50代以降の方々では、むしろ50代を超えるとアルツハイマーになる方が減っているのです。これはなぜかという、これらの方々は何十年も抗エイズ薬を服用しているからだと推測されます。そのため、アルツハイマーにならないのは、抗エイズ薬の中に神経を修復する作用があるのではないかという仮説が立てられました。この発見はニューヨークのブラウン大学の先生によるもので、そのメカニズムの中で、世界で最も効果的なものがOBP-601であることがわかったのです。

櫻井：よくそこに気が付きましたね。

浦田：本当にありがたいと思います。

根本的治療を目指す新規メカニズム



炎症及び神経変性疾患

※：レトロトランスポソンは、太古に感染したヒトレトロウイルスの痕跡と言われ、ヒトゲノムの約8%を占める。
参考：Transposon Therapeutics, Inc. HP (<https://transposonrx.com/>)

17

櫻井：新しいメカニズムについては次のページですね。

浦田：はい。難しい話になりますが、レトロトランスポソンという聞き慣れない名前ものがあります。アメリカのライセンスした会社も「トランスポソン」という社名を付けています。私たちがよく知っている2重螺旋のDNAの中には、約40%が何をしてい

るかわからない遺伝子が含まれています。これらの遺伝子は、私たちが水中で魚のような生物だったころから進化の過程で感染してきたさまざまなウイルスに影響を受けています。先ほどお話しした OBP-301 というのは、DNA の中には入り込まない遺伝子ですが、エイズウイルスは遺伝子の中に入り込んでしまいます。同じように私たちの遺伝子に入って存在してしまっています。これらの「浮遊する遺伝子」と呼ばれるトランスポゾンを抑制することで、さまざまな炎症が止まることがわかってきました。難しい話は別にして、トランスポゾンを抑制するということを覚えておいていただければと思います。

ライセンス契約概要



2020年6月に Transposon Therapeutics, Inc. と独占的ライセンス契約を締結

TRANSPONON
THERAPEUTICS

本社：米国Connecticut州, Westport 2019年設立
使命：LINE-1関連神経変性疾患の革新的な治療法の開発

対 象 疾 患	神経変性疾患
地 域	全世界
契 約 総 額	3億ドル（約450億円※）以上 但し、販売ロイヤリティ収入を除く
ロイヤリティ率	Transposon社の意向で非公開
コ ス ト	開発・製造・販売コストはTransposon社が負担

※ 1ドル=150円換算

18

櫻井：では、ライセンス契約について教えてください。

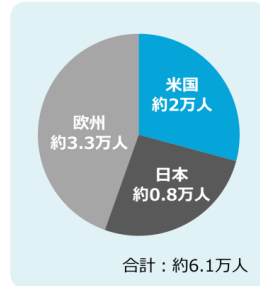
浦田：このトランスポゾンとの契約は総額3億ドル、現在のレートで約450億円以上になります。これはマイルストーンによる収入などが含まれており、加えて他にもロイヤリティ収入が得られるので、非常に大きな契約です。

櫻井：もしうまくいけば、3億ドル以上が入ってくるということですね。では、対象疾患については？

1. 治療法が確立されていない神経難病を対象に臨床試験を実施している。
2. 現在は、特に①PSP（進行性核上性麻痺）、②ALS（筋萎縮性側索硬化症）の臨床試験が進んでおり最終解析データを開示している。

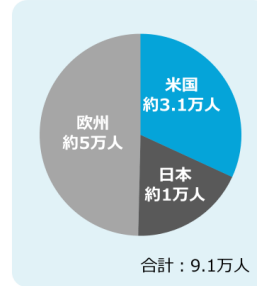
① PSP（進行性核上性麻痺）

… 転びやすい、眼の動きが悪くなる、
しゃべりにくい、記憶障害等



② ALS（筋萎縮性側索硬化症）

… 筋力低下、呼吸機能低下、
嚥下障害等



※ FTD（前頭側頭型認知症）、記憶障害、言葉の意味が分からなくなる、感情の麻痺等
AGS（アイカルティ・ゴーティ工症候群）、小頭症、筋肉のこわばり等

浦田：はい、今進めているものとして、左側にある PSP（進行性核上性麻痺）という病気があります。これはパーキンソン病に似ていますが、手が震えるだけでなく、歩行中に突然転んでしまう、倒れてしまう方もいる病気です。もう一つは ALS（筋萎縮性側索硬化症）で、ホーキング博士もこの病気でした。全身の筋肉が徐々に衰え、最終的には呼吸する筋肉も動かなくなり、呼吸ができなくなって亡くなってしまふ、非常に怖い病気です。

PSP（進行性核上性麻痺）Phase2a 最終解析データ開示

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. Phase2a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。

今後の見通し

- Transposon社は、2024年7月にFDAと“End of Phase2 Meeting”を実施した。
- FDAからの助言を基に、Phase 3 臨床試験を準備している。

櫻井：今は最終のデータ開示の段階ですか？

浦田：はい。フェーズ2が終わりまして、アメリカでは優先審査、いわゆる「ファーストトラック」の指定を受けています。特に腰から脳脊髄液を取るんですけども、6か月から1年ほどこの薬を服用すると、神経が分解されて出てくるニューロフィラメントが脳脊髄液中で減少していることが確認されています。また、IL-6という炎症性物質、サイトカインの一種ですが、これも減少しており、神経の炎症が抑えられていることを証明できています。このPSPは現時点では治療法が全くない領域ですので、非常に期待されています。

櫻井：認可されれば、患者さんにとっては大きな朗報ですね。待っている方も多いのではないのでしょうか。

C9-ALS（筋萎縮性側索硬化症）Phase2a 最終解析データ開示



1. Phase2a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**。

今後の見通し

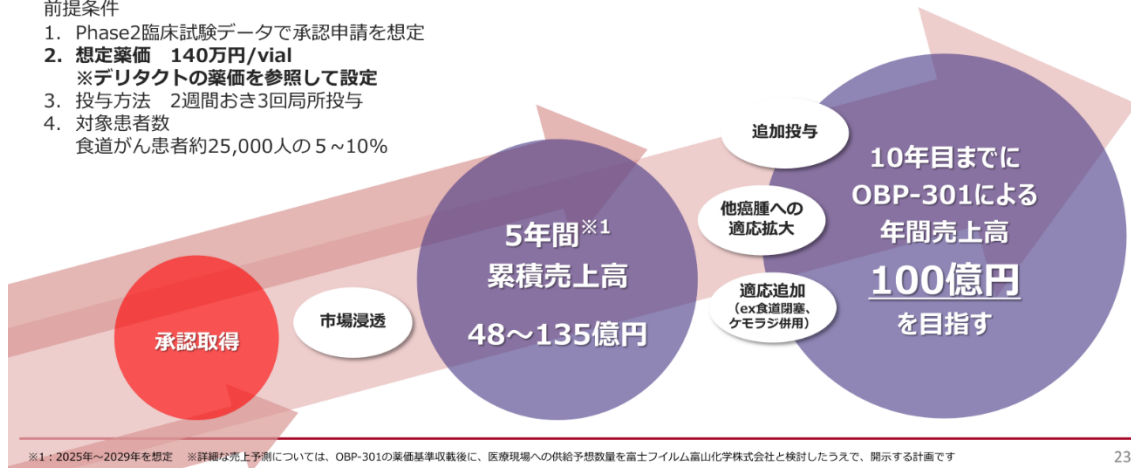
- 年内の学会で48週最終解析データに関する詳細なデータ開示を予定している。
- Transposon社は、FDAとPhase3臨床試験に向けた“End of Phase2 Meeting”を計画している。

浦田：もう1つ、ALSについてですが、こちらも脳脊髄内での炎症が抑えられ、脳の神経の分解が止まっていることが確認されています。脊髄というのは脳とくっついているため、脳の中の状況を表しています。そして、まもなく世界の国際学会で発表予定ですが、ALSの患者様の呼吸機能の低下が1年間で大きく進行するところを、今回の治療で抑制できたという結果が出ています。これは延命効果にもつながる可能性があり、現在、最終的な大規模臨床試験の準備を進めています。

“世界初の腫瘍溶解アデノウイルス製剤”である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3回局所投与
4. 対象患者数
食道がん患者約25,000人の5~10%



櫻井：オンコリスの未来像についてお話いただけますか？一番伝えたかったところだと思います。

浦田：そうですね。お話した色々なネタがありますけれども、来年にはテロメライシンが市場に出て、誰でも使えるような薬にしたいと考えています。そして、5年後には累積売上が確実に100億円を超え、10年後には年間100億円を売り上げる薬にしていきたいですね。今は主に食道がんの話をしていますが、次に狙いたいのは舌がんや歯肉がんです。我々の薬は局所治療の薬なので、通常、舌がんの患者は全身治療を受けて体に大きな負担をかけますが、我々は局所治療で舌や歯茎、顎を最小限の手術で残せるような、そういう世界を作りたいと思っております。

櫻井：その辺りの疾患もターゲットということですね。今後のOBP-601はどうでしょうか。

OBP-601の今後のシナリオ



1. Transposon社は、グローバル製薬企業へのサブライセンス、IPO・M&Aなど様々な選択肢がある。
2. オンコリスはTransposon社のビジネス成果により然るべき収入を得ることが可能である。



<神経難病領域のライセンス例>

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
2019.12	Roche	米Serepta	1725億円	3525億円	筋ジストロフィー	遺伝子治療
2020.8	Biogen	米Denali	1537億円	3225億円	パーキンソン病	低分子
2020.11	Biogen	米Sage	2287億円	4687億円	精神疾患	低分子

※ 1ドル150円換算

24

浦田：OBP-601 についてですが、これはアメリカのベンチャー企業、トランスポゾンが取り組んでいます。ただ、大規模な臨床試験には莫大な資金が必要で、彼らはアメリカやヨーロッパなどの大手製薬企業とタイアップを検討しています。最近では筋ジストロフィーやパーキンソン病、精神疾患向けの薬がロシュなどの大手製薬会社にライセンスされ、総額で 3000 億円から 4000 億円規模の契約が結ばれています。アメリカのベンチャー企業では、頭金として 1500 億円から 2000 億円を受け取ることもあります。もちろん、トランスポゾンが行うことですので、全額が我々に入るわけではありませんが、契約により相当の部分が当社にも入ってくることになっています。この薬が神経難病に効果があると大手製薬メーカーが認めれば、我々の業績にも大きく影響してきます。

櫻井：特にアメリカのバイオベンチャーって、こういうところから超巨大産業に成長した例がたくさんありますよね。

浦田：そうですね。ベンチャー企業が普通の製薬企業に成長することは、我々も目指しているところです。

櫻井：日本ではあまりそういう例がないですよ。

浦田：そうですね、まだ日本ではそういった例はないです。

「①医薬品を製造販売業者として供給することで継続した収入が得られる**製薬会社型事業モデル**」と「②**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へ当社自身を変革させていく。



25

櫻井：では、ビジョンについて次のページにあります。

浦田：当然、こうライセンスをすると、大手製薬会社次第という構図になるんですけども、我々は自分たちで製薬会社になり、我々は自ら製薬会社になり、自分たちの努力で黒字化を維持していけるような会社を目指していきたいと思います。

櫻井：しかし、株式市場というのは、こういうビジネスモデルを応援する人たちも集まっていますよね。

浦田：そうですね。それを大きく期待したいと思っています。

櫻井：単に薬の開発だけで生きているのではなくて、患者さんがいるというのがバイオは重要です。患者さんが治るし、患者さんが待っているという事実が重要で、それはもの凄い巨大な社会貢献だと思います。でも、お金はかかりますよね。

浦田：はい。当社も今資金調達をしているところですけども、早く資金調達を終えて、薬の承認に向かうことによって、薬の売り上げで経営できるようにしたいと思っています。



“Powering Future Oncotherapy” 未来のがん治療に新たな選択肢を！

Copyright(C) 2024, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

26

櫻井：最後のページには、「未来のがん治療に新たな選択肢を」とあります。

浦田：それが我々の合言葉です。食道がんというのは、これまで治療薬がなかった領域です。我々は、世界で初めての食道がん局所治療薬を承認に持ち込みたいと考えています。どうぞ今後ともよろしく願いいたします。

櫻井：浦田社長、ありがとうございました。