



## 2023年12月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕（非連結）

2023年8月4日

上場会社名 オンコロスバイオフーマ株式会社 上場取引所 東  
 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） 取締役（氏名） 吉村 圭司（TEL）03(5472)1578  
 四半期報告書提出予定日 2023年8月4日 配当支払開始予定日 —  
 四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無  
 四半期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. 2023年12月期第2四半期の業績（2023年1月1日～2023年6月30日）

## （1）経営成績（累計）

（%表示は、対前年同四半期増減率）

	売上高		営業利益		経常利益		四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2023年12月期第2四半期	63	△85.2	△900	—	△867	—	△868	—
2022年12月期第2四半期	426	—	△658	—	△590	—	△570	—
	1株当たり 四半期純利益		潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益					
	円 銭		円 銭					
2023年12月期第2四半期	△50.16		—					
2022年12月期第2四半期	△32.92		—					

（注）「収益認識に関する会計基準」（企業会計基準第29号2020年3月31日）等を2022年12月期第1四半期会計期間の期首から適用しております。売上高に大きな影響が生じるため2022年12月期第2四半期の売上高の対前年同四半期増減率は、記載しておりません。

## （2）財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2023年12月期第2四半期	1,866	1,290	68.7
2022年12月期	2,650	2,159	81.2

（参考）自己資本 2023年12月期第2四半期 1,282百万円 2022年12月期 2,151百万円

## 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
2022年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
2023年12月期	—	0.00			
2023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. 2023年12月期の業績予想（2023年1月1日～2023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) 四半期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)

2023年12月期2Q	17,405,200株	2022年12月期	17,405,200株
-------------	-------------	-----------	-------------

② 期末自己株式数

2023年12月期2Q	87,738株	2022年12月期	82,238株
-------------	---------	-----------	---------

③ 期中平均株式数 (四半期累計)

2023年12月期2Q	17,318,729株	2022年12月期2Q	17,330,403株
-------------	-------------	-------------	-------------

※ 四半期決算短信は公認会計士又は監査法人の四半期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. 四半期財務諸表及び主な注記	3
(1) 四半期貸借対照表	3
(2) 四半期損益計算書	5
第2四半期累計期間	5
(3) 四半期キャッシュ・フロー計算書	6
(4) 四半期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)	7
3. 補足情報	9
(1) 研究開発活動	9

## 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

当第2四半期累計期間(2023年1月1日～2023年6月30日)における日本経済は、日経平均株価はバブル後高値を更新し、7月に発表された6月日銀短観では幅広い会社で原料費の価格転嫁が進み、円安による訪日外国人向けビジネスへの追い風や輸出ビジネスの営業利益増益などにより、大企業を中心に景況感の急改善が見られています。一方で、世界経済においては、米連邦準備委員会(FRB)は金利据え置きを決定したものの、英国イングランド銀行はインフレ対策として利上げを継続するなど主要国中央銀行の金融引き締めによる世界景気の減速リスクは続き、先行き不透明感は継続しています。

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、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、経営の効率化及び積極的な研究・開発・ライセンス活動を展開いたしました。

特に、がんのウイルス療法テロメライシン(OBP-301)や新型コロナウイルス感染症治療薬OBP-2011を中心に、「がんのウイルス療法」と「重症ウイルス感染症治療薬」を事業領域とした「ウイルス創薬」を目指し、研究・開発・ビジネス活動を推進させています。また、核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601(censavudine)は、Transposon Therapeutics, Inc. (以下「Transposon社」)とのライセンス契約の下、同社の全額費用負担により欧米で複数の臨床試験が進められています。

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。

当第2四半期の業績は、売上高63,038千円(前年同四半期は売上高426,152千円)、営業損失900,989千円(前年同四半期は営業損失658,898千円)となりました。また、営業外収益として、受取利息533千円、為替差益35,051千円等を、営業外費用として支払利息1,781千円、譲渡制限付株式報酬償却435千円を計上した結果、経常損失867,441千円(前年同四半期は経常損失590,514千円)になり、四半期純損失868,762千円(前年同四半期は四半期純損失570,569千円)となりました。

### (2) 財政状態に関する説明

当第2四半期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1,866,628千円(前事業年度末比29.6%減)となりました。負債は、未払金の増加等により576,121千円(前事業年度末比17.2%増)となりました。純資産は、四半期純損失等により1,290,506千円(前事業年度末比40.2%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、新規契約の締結による契約一時金収入や、ライセンス契約締結先のイベント達成により発生するマイルストーン収入によって大きく変動します。また、2023年12月期の通期業績見通しを公開することで、2023年に計画しているテロメライシンの国内販売提携契約に関する経済条件交渉や、免疫チェックポイント阻害剤を販売する大手製薬会社との米国でのテロメライシン共同研究体制の構築に関する条件交渉に影響を与えるリスクもあります。

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. 四半期財務諸表及び主な注記

(1) 四半期貸借対照表

(単位：千円)

	前事業年度 (2022年12月31日)	当第2四半期会計期間 (2023年6月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	1,711,280	1,335,419
製品	8,434	6,124
仕掛品	12,666	—
貯蔵品	3,149	2,828
前払金	506,316	313,793
前払費用	47,970	42,186
関係会社短期貸付金	39,813	14,499
未収入金	174,310	53,524
未収還付法人税等	28,299	—
未収消費税等	75,982	21,463
立替金	29	—
その他	501	8
流動資産合計	2,608,754	1,789,848
固定資産		
有形固定資産		
建物	2,794	4,794
減価償却累計額	△2,794	△2,794
建物（純額）	—	2,000
工具、器具及び備品	65,939	68,791
減価償却累計額	△65,939	△66,080
工具、器具及び備品（純額）	—	2,711
有形固定資産合計	—	4,711
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	—	28,998
敷金及び保証金	21,149	21,083
長期前払費用	—	947
その他	19	4
投資その他の資産合計	42,204	72,068
固定資産合計	42,204	76,779
資産合計	2,650,959	1,866,628

(単位：千円)

	前事業年度 (2022年12月31日)	当第2四半期会計期間 (2023年6月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
短期借入金	227,776	236,110
リース債務	3,581	3,622
未払金	60,858	96,104
未払費用	17,099	14,449
未払法人税等	2,931	10,887
預り金	9,392	7,980
流動負債合計	321,639	369,153
固定負債		
長期借入金	155,544	194,436
リース債務	6,758	4,936
退職給付引当金	7,748	7,595
固定負債合計	170,051	206,967
負債合計	491,690	576,121
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	3,000,000	3,000,000
資本剰余金		
資本準備金	586,425	586,425
資本剰余金合計	586,425	586,425
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△1,434,694	△2,303,457
利益剰余金合計	△1,434,694	△2,303,457
自己株式	△142	△142
株主資本合計	2,151,589	1,282,826
新株予約権	7,680	7,680
純資産合計	2,159,269	1,290,506
負債純資産合計	2,650,959	1,866,628

(2) 四半期損益計算書  
第2四半期累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期累計期間 (自2022年1月1日 至2022年6月30日)	当第2四半期累計期間 (自2023年1月1日 至2023年6月30日)
売上高	426,152	63,038
売上原価	186,697	32,433
売上総利益	239,454	30,604
販売費及び一般管理費	898,353	931,594
営業損失(△)	△658,898	△900,989
営業外収益		
受取利息	284	533
受取配当金	—	3
為替差益	84,344	35,051
その他	12	177
営業外収益合計	84,641	35,765
営業外費用		
支払利息	1,937	1,781
譲渡制限付株式報酬償却	14,289	435
株式交付費	30	—
営業外費用合計	16,257	2,217
経常損失(△)	△590,514	△867,441
特別利益		
債権売却益	21,406	—
固定資産売却益	—	136
特別利益合計	21,406	136
税引前四半期純損失(△)	△569,108	△867,305
法人税、住民税及び事業税	1,461	1,457
法人税等合計	1,461	1,457
四半期純損失(△)	△570,569	△868,762

(3) 四半期キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第2四半期累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年6月30日)	当第2四半期累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年6月30日)
<b>営業活動によるキャッシュ・フロー</b>		
税引前四半期純損失 (△)	△569,108	△867,305
減価償却費	155	141
譲渡制限付株式報酬償却	14,289	435
債権売却益	△21,406	—
株式報酬費用	41,705	5,488
退職給付引当金の増減額 (△は減少)	1,792	△153
受取利息及び受取配当金	△287	△536
支払利息	1,937	1,781
為替差損益 (△は益)	△82,550	△34,696
売上債権の増減額 (△は増加)	321,697	—
棚卸資産の増減額 (△は増加)	251	15,297
前払費用の増減額 (△は増加)	△6,679	△1,083
未収入金の増減額 (△は増加)	△77,824	149,396
未収消費税等の増減額 (△は増加)	△21,868	54,519
前払金の増減額 (△は増加)	△68,762	192,523
未払金の増減額 (△は減少)	△49,980	31,576
契約負債の増減額 (△は減少)	△151,697	—
その他	△51,383	5,761
小計	△719,719	△446,855
利息及び配当金の受取額	154	243
利息の支払額	△2,189	△2,017
法人税等の支払額	△728	△2,923
営業活動によるキャッシュ・フロー	△722,482	△451,552
<b>投資活動によるキャッシュ・フロー</b>		
債権の売却による収入	21,406	—
有形固定資産の取得による支出	△635	△951
有形固定資産の売却による収入	—	136
敷金及び保証金の回収による収入	71	66
投資活動によるキャッシュ・フロー	20,841	△748
<b>財務活動によるキャッシュ・フロー</b>		
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	△72,220	△52,774
短期借入金の純増減額 (△は減少)	2,786	—
リース債務の返済による支出	△907	△1,780
自己株式の取得による支出	△28	—
その他の支出	△30	—
財務活動によるキャッシュ・フロー	29,599	45,445
現金及び現金同等物に係る換算差額	76,061	30,994
現金及び現金同等物の増減額 (△は減少)	△595,979	△375,860
現金及び現金同等物の期首残高	3,209,635	1,466,201
現金及び現金同等物の四半期末残高	2,613,656	1,090,340



(4) 四半期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)

該当事項はありません。

(セグメント情報等)

【セグメント情報】

I 前第2四半期累計期間(自 2022年1月1日 至 2022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 当第2四半期累計期間(自 2023年1月1日 至 2023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)

	前第2四半期累計期間 (自 2022年1月1日 至 2022年6月30日)	当第2四半期累計期間 (自 2023年1月1日 至 2023年6月30日)
一時点で移転される財又はサービス	62,075	63,038
一定の期間にわたり移転される財又はサービス	364,076	—
顧客との契約から生じる収益	426,152	63,038
その他の収益	—	—
外部顧客への売上高	426,152	63,038

(重要な後発事象)

1. 第三者割当による第19回新株予約権(行使価額修正条項付)の発行

当社は、2023年7月7日開催の取締役会においてSMBC日興証券株式会社(以下「SMBC日興証券」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、2023年7月24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19回新株予約権(行使価額修正条項付)の概要

割当日	2023年7月24日
発行新株予約権数	34,600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個当たり金610円(総額21,106,000円)
当該発行による潜在株式数	潜在株式数：3,460,000株 上限行使価額はありませぬ。 下限行使価額は313円ですが、下限行使価額においても、潜在株式数は、3,460,000株です。
資金調達額	2,175,606,000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625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	2023年7月25日から2025年7月31日								
資金使途	<table border="1"> <thead> <tr> <th>具体的な使途</th> <th>金額 (千円)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>①テロメライシンの製造・販売・流通に関する費用</td> <td>1,127,000</td> </tr> <tr> <td>②テロメライシンの製造販売体制構築や維持等の運転資金</td> <td>1,048,606</td> </tr> <tr> <td>合 計</td> <td>2,175,606</td> </tr> </tbody> </table>	具体的な使途	金額 (千円)	①テロメライシンの製造・販売・流通に関する費用	1,127,000	②テロメライシンの製造販売体制構築や維持等の運転資金	1,048,606	合 計	2,175,606
具体的な使途	金額 (千円)								
①テロメライシンの製造・販売・流通に関する費用	1,127,000								
②テロメライシンの製造販売体制構築や維持等の運転資金	1,048,606								
合 計	2,175,606								
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いたします。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いたします。

## 2. 新株予約権の行使による増資

2023年7月25日以降、2023年7月31日までの間に、本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	26,600株
(2) 行使新株予約権個数		266個
(3) 行使価額総額		12,955千円
(4) 増加した資本金の額		6,477千円
(5) 増加した資本準備金の額		6,477千円

### 3. 補足情報

#### (1) 研究開発活動

当社の当第2四半期累計期間における創薬事業の研究開発費は、636,952千円となりました。なお、当第2四半期累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

2023年6月30日現在、研究開発部門は20名在籍しており、これは総従業員数の50.0%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、以下のプロジェクトを中心に研究開発並びにビジネス活動を進めました。

#### ①がんのウイルス療法テロメライシン(OBP-301, 国際一般名称:suratadenoturev)に関する活動

テロメライシンは現在、日本国内で厚生労働省より再生医療等製品の「先駆け審査指定」を受けて「放射線併用による食道がんPhase 2 臨床試験」を実施し、すでに症例組み入れを完了して全症例の予後を追跡調査する段階になっており、2024年に国内での新薬承認申請を行う計画です。また、商用スケールのウイルス製造開発を進め、PMDAとの事前相談を行っています。さらに、当社独自の製造販売体制の整備を開始し、販売提携候補企業とアライアンスに向けたデューデリジェンスや条件交渉を進めています。一方、海外展開に関しては、米国でのテロメライシンの共同開発体制の構築に向けて、免疫チェックポイント阻害剤を販売する海外大手製薬企業に対して臨床試験プロトコルを提示し、その合意が得られている段階です。

現在、テロメライシンは、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められています。

##### i) 放射線併用食道がんPhase 2 臨床試験

##### ii) 抗PD-1抗体ペムプロリズマブ併用胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験

##### iii) 放射線化学療法併用食道がんPhase 1 医師主導治験

上記i)の「放射線併用食道がんPhase 2 臨床試験」は、2019年4月の「先駆け審査制度」の指定に基づき全国17か所の治験実施施設で進められ、2022年12月に本治験の目標症例に到達したことを確認しました。現在、症例の予後の追跡調査を進めており、2023年6月にはPhase 2 臨床試験の専門委員会を開催し、治験の進行状況を確認し、今後の方針などについて報告しました。本治験の結果は、2023年10月に取得できる見通しです。なお、現時点までに本治験を中断するような安全性上の問題は発生しておりません。当社は本治験と並行して、PMDAと承認申請に向けた非臨床試験・臨床試験・製造等に関する事前相談を開始しています。

当社はテロメライシンの新薬承認申請に向けて、Henogen社（ベルギー）で商用製品製造の開発を進めています。2023年11月にはプロセスバリデーションを開始し、承認申請を行う2024年には商用製造を開始する計画です。

また、Henogen社でテロメライシンを製剤化した後、日本国内へ輸入して医療機関までGMP体制を維持したまま円滑に移送できるよう、国内製造所の役割を担う企業と提携して物流体制を構築する準備を進め、2023年9月の契約締結を計画しています。2023年6月にはユーロフィン分析科学研究所と契約を締結し、テロメライシンの最終出荷判定に必要な品質試験のバリデーションを開始しています。さらに、国内での効率的な販売を行うために、製薬会社との販売提携交渉を進め、2023年中の契約締結を目指しています。

上記ii)の「抗PD-1抗体ペムプロリズマブ併用胃がん・胃食道接合部がんPhase 2 医師主導治験」は、米国コーネル大学を中心に、過去に治療歴のある最も重症度が高い患者を対象に、テロメライシンと抗PD-1抗体ペムプロリズマブを併用した場合の有効性及び安全性の評価を行うことを目的として、2019年5月から開始されました。これまでに組入れた16例のうち3例で長期生存が確認され、この結果は本試験の有効性を示す基準を満たす結果と判断され、目標とされていた18例までの組入れを待たず、2022年末で本治験の症例組入れを前倒しで

終了することを決定しました。また、本治験の中間解析結果は、米国コーネル大学のマニッシュ・シャー医師により米国臨床腫瘍学会（ASCO2023年6月）で発表されました。なお、現在当社は、本試験の結果をもとに米国コーネル大学と次ステップの臨床試験を計画しており、免疫チェックポイント阻害剤を販売する海外製薬会社を含めた共同開発体制を2023年9月に構築する計画です。

上記iii)の「放射線化学療法併用食道がんPhase 1 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、テロメライシン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月から開始されました。現在アメリカ国内6施設で実施されており、第一段階の全6例の組み入れが完了しています。これまでに問題となるような副作用は報告されていません。テロメライシン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、米国においてテロメライシン承認後の7年間は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。

## ②核酸系逆転写酵素阻害剤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Phase 2 b臨床試験が実施された結果、OBP-601の既存薬との非劣性が示されました。同時期には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社のHIV領域撤退という戦略変更によって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（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確認され、同作用を持つOBP-601の脳内移行性が高く、LINE-1というレトロトランスポゾンの産生を強力に抑制することが確認されました。このようなメカニズムに着目してOBP-601を神経難病に応用しようと計画していたTransposon社との間で、当社は2020年6月に全世界を対象とした総額3億ドル超の新規ライセンス契約を締結し、同年11月にTransposon社は第1回マイルストーンを達成しています。

現在、Transposon社によって「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Phase 2 a臨床試験が欧米の多施設で進められています。また、2023年7月にアイカルディ・ゴーティエ症候群（AGS: Aicardi-Goutières Syndrome）を対象にした欧州での単群によるPhase 2a臨床試験の投与を開始しました。

PSPを対象とした臨床試験は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み入れが完了しました。当社はTransposon社から中間解析結果の報告を受けましたが、その内容の詳細に関してはTransposon社の意向により現段階では非開示としています。なお、現在までに、本臨床試験で試験を中止するような安全性上の問題は報告されていません。

また、C9 ALS/FTDを対象とした臨床試験も2022年1月に投与が開始され、2023年3月に目標症例数の組み入れが完了し、組み入れ患者の長期フォローアップをしています。現在までに、本臨床試験で試験を中止するような安全性上の問題は報告されていません。

さらに、Transposon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、欧州で規制当局の承認を得て、2023年7月に新たなPhase 2a臨床試験の投与を開始しました。これらのOBP-601に関する臨床試験は、全額Transposon社の費用負担で進められています。

なお、Transposon社はOBP-601の開発を目的に設立された企業であり、当社は、Transposon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。

## ③新型コロナ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、新型コロナウイルス治療薬の承認ハードルが上昇していること、並びに新型コロナウイルス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、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへの経営リソース

集中により、開発方針を見直す必要性が生じました。今後は、鹿児島大学や国立感染症研究所と共同研究体制による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、新たなパンデミックに対応できる体制を維持していく考えです。

④次世代テロメライシンOBP-702に関する活動

OBP-702は、強力ながん抑制遺伝子p53をベクター内に搭載する「がん遺伝子治療」と、テロメライシンの持つ「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。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非臨床試験が進められています。特に、ゲムシタピ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ゆくことが期待されます。なお、2024年に承認申請を目指すテロメライシンへ経営リソースを集中させるために、OBP-702の開発は助成金の範囲内で継続してゆく予定です。

⑤がん検査薬テロメスキャン（OBP-401）に関する活動

テロメスキャンは、がん患者の血液中を循環している生きたがん細胞（CTC：Circulating Tumor Cells）の検査自動化プラットフォームの確立を目的に、順天堂大学と共同研究講座「低侵襲テロメスキャン次世代がん診断学講座」を2021年6月に開設いたしました。しかし、AIによる画像学習のためには多くの画像取得が必要であり、当初計画と比較して画像取得に時間を要しているため、順天堂大学との開発進捗は遅延しています。

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、がん領域で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形成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2023年4月に米国レイジアナ州ニューオーリンズで開催された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。今後は点眼剤での開発が期待されています。

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
テロメライシン (OBP-301) (suratadenoturev)	食道がん	放射線療法	日本	Phase 2 (組入れ終了)
		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 (組入れ終了)
	胃がん・ 胃食道接合部がん	抗PD-1抗体ペムブロリズマブ	米国	Phase 2 (組入れ終了)
	肝細胞がん	抗PD-L1抗体アテゾリズマブ 及び分子標的薬	日本	Phase 1 (終了)
		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	米国	Phase 2 a (組入れ終了)
	筋萎縮性側索硬化症 (C9-ALS) /前頭側頭型認知症 (FTD)	単独療法	米国・欧州	Phase 2 a (組入れ終了)
	アイカルディ・ゴーティエ 症候群 (AGS)	単独療法	欧州	Phase 2 a
OBP-2011	新型コロナウイルス 感染症	未定	日本	前臨床
OBP-702	固形がん	抗PD-(L)1抗体を想定	日本	前臨床
テロメスキャン (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	単独療法	日本	前臨床