



Powering Future Oncotherapy
—— Oncolys BioPharma

事業説明会

オンコリスバイオフーマ株式会社（証券コード：4588）
2024年3月28日

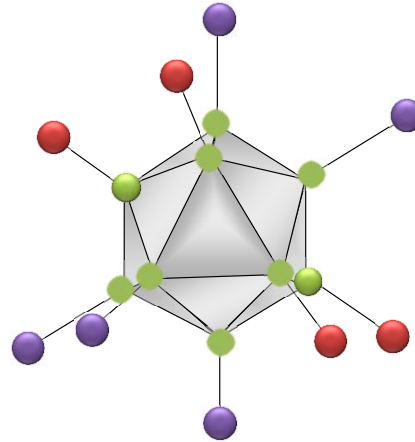
01	会社概要	P. 3
02	テロメライシン suratadenoturev (OBP-301)	P. 9
	censavudine (OBP-601)	P. 24
03	まとめ	P. 41

がんのウイルス療法

 **Telomelysin[®]**
腫瘍溶解性ウイルス


 **OBP-702**
第2世代テロメライシン

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”

会社概要及び株主構成



会社名	オンコリスバイオフーマ株式会社 (4588)
所在地	東京都港区虎ノ門4-1-28
設立	2004年3月18日
資本金	3,623,165千円
市場	東京証券取引所グロース市場
事業所	神戸リサーチラボ



東京本社

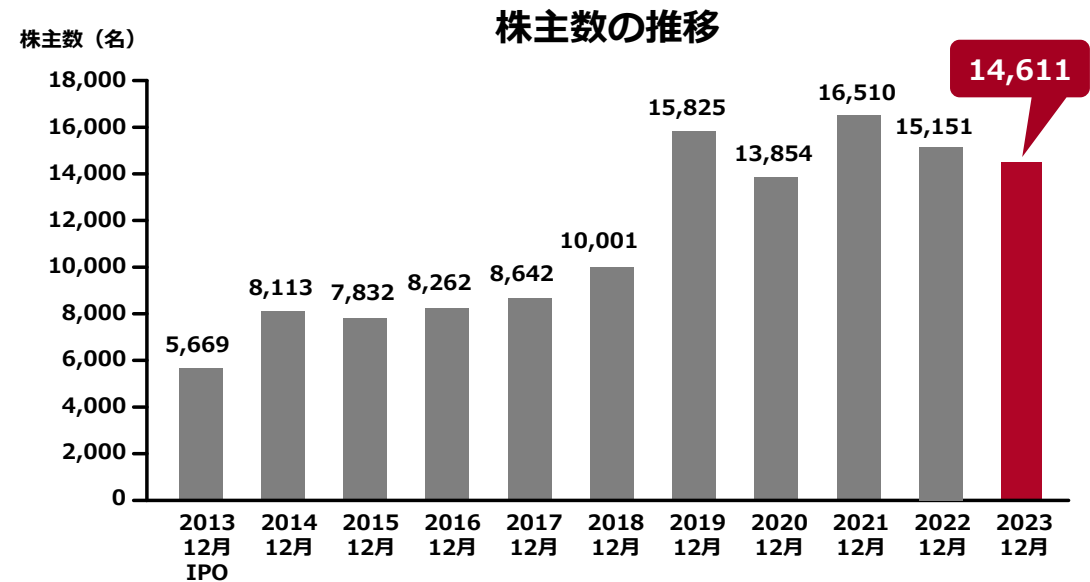


神戸リサーチラボ



Oncolys USA Inc.
(New Jersey)

No.	株主名	持分	属性
1	楽天証券	4.5%	
2	アステラス製薬	3.7%	東証プライム:4503
3	SBI証券	2.8%	
4	浦田泰生	2.5%	代表取締役社長
5	野村信託銀行信託口	1.9%	
6	中西均	1.1%	
7	日本証券金融	1.0%	
8	SMBC日興証券	0.9%	
9	野村證券	0.7%	
10	川端大造	0.7%	



グローバルネットワーク



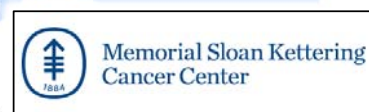
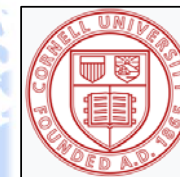
鹿児島大学
馬場 昌範 教授



岡山大学
藤原 俊義 教授



Oncolys USA INC.
Talia Biran



ガバナンス体制



取締役



浦田 泰生

代表取締役社長・創立者

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)

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に就任。国内外複数企業にて取締役を経験し、海外製造拠点のマネジメントも務める。



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、クオリブ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。現在は、京都府立医科大学、学長補佐エグゼクティブ・フェローを務める。

執行役員

(五十音順)



佐藤 英一郎

経営企画担当執行役員
兼 社長室長



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)

研究開発担当執行役員
兼 創業企画部長



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



立谷 勝房

常勤監査役

外務省に入省。副領事として、アメリカやイランに駐在。日本コンピュータビジョンで経理部長、外資系機器メーカーで管理部門を経験。

大木 史郎

社外監査役

小野薬品工業に入社。日本たばこ産業にて執行役員臨床開発部長に就任。現在、富士化学工業顧問。

永塚 良知 (弁護士)

社外監査役

1996年 弁護士登録
(第一東京弁護士会)
現在、光和総合法律事務所
パートナー弁護士。

マネジメントのスキルセット



氏名	役職名	担当	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	●	●	●		●	
樫原 康成	取締役	事業開発/リスク管理		●	●	●	●	
斎藤 泰	社外取締役		●		●		●	●
飯野 直子	社外取締役		●		●		●	
佐藤 英一郎	執行役員	経営企画			●	●	●	
田口 めぐみ	執行役員	人事戦略				●		
秦 耕平	執行役員	事業企画					●	●
吹野 晃一 (医師)	執行役員	創薬企画		●	●			
米尾 哲治	執行役員	経理財務						●
Talia Biran, M.Sc	Oncolys USA Inc. 社長	子会社経営		●	●			
立谷 勝房	常勤監査役				●			●
大木 史郎	社外監査役			●				
永塚 良和	社外監査役					●		

01	会社概要	P. 3
02	テロメライシン suratadenoturev (OBP-301)	P. 9
	censavudine (OBP-601)	P. 24
03	まとめ	P. 41

パイプライン一覧



開発品	対象疾患	臨床試験（治験）				申請	承認
		前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
テロメライシン (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		Phase2データで 国内承認申請予定	
	胃がん	オーファン指定		『オーファンドラッグ』申請予定			
		肝細胞がん					
censavudine (OBP-601)	PSP※1					TRANSPONON 導出済	
	C9-ALS※2/FTD※3						
	AGS※4						
OBP-2011	ウイルス感染症						
OBP-702	固形がん						

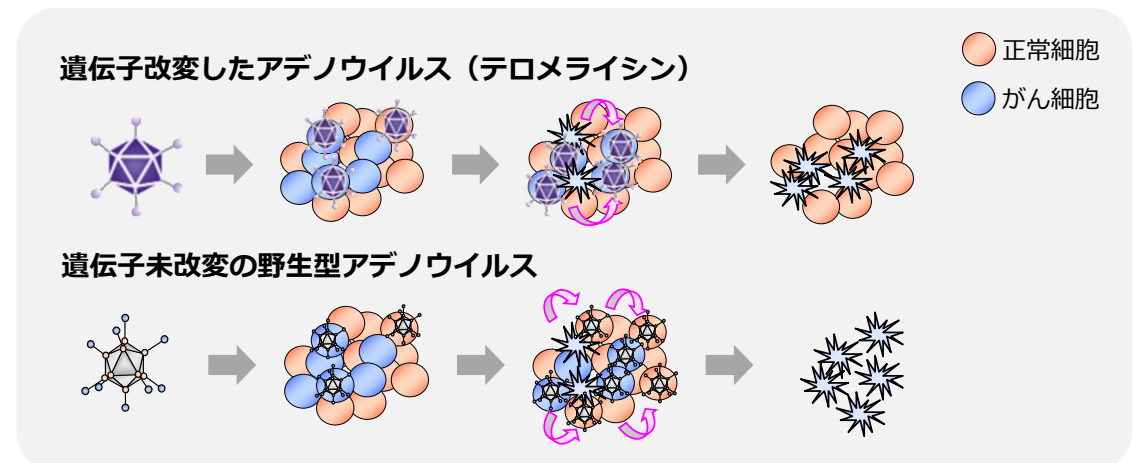
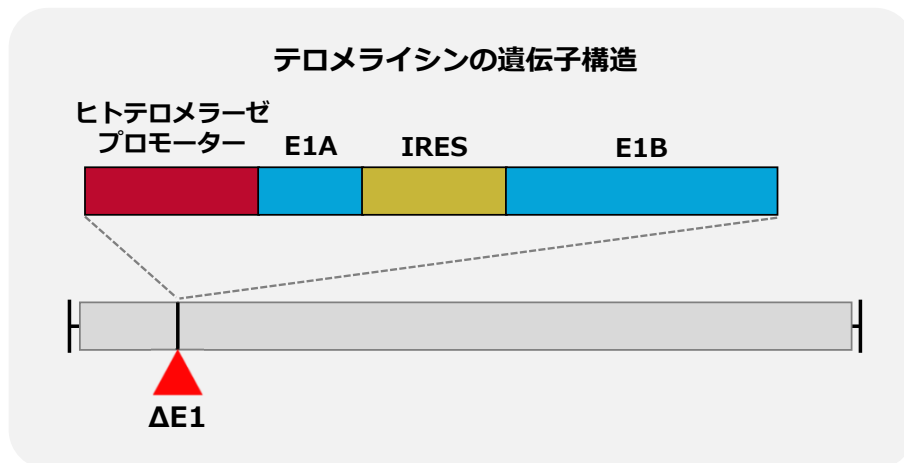
開発品	対象領域	臨床研究	臨床性能試験	申請	承認
テロメスキャン	CTC検出				

テロメライシン：肝細胞がんについては治験終了した。頭頸部がんについては組入れを中止した。

※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

テロメライシンとは

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**重篤な副作用がなく**、**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**に治療可能である
5. **食道の温存を希望する患者**に対し、**がんを切らずに治療**することができる
6. 先駆け審査指定を利用して、**Phase 2 臨床試験データ**で承認申請を目指している

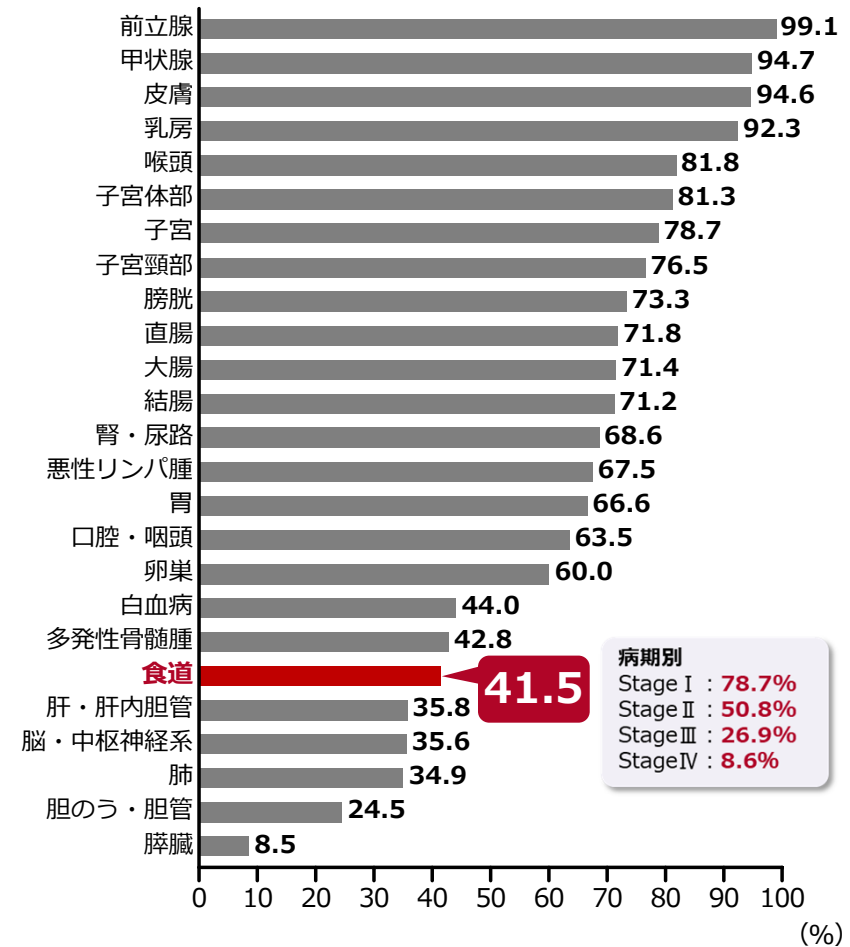


1. 嚥下障害（食道狭窄）や栄養障害等によりQOLが低下する
2. 手術による食道の構造変化で逆流性食道炎や誤嚥等のリスクが高まる
3. CPi、化学療法等では、狭窄などに対する局所治療が困難である
4. 食道がんの手術は長時間で侵襲が大きく、患者に大きな負担がかかる
5. 嘔吐・脱毛等の副作用を伴う治療に耐えることが困難な患者が多い
6. 肝臓や腎臓に合併症を持つ高齢者が増え、化学療法が難しい場合も多い



● 患者QOLの改善につながる新規治療法の開発が必要

国内におけるがん種別の相対5年生存率



食道がん放射線Phase2 トップラインデータ公表



- 2023年10月にトップラインデータを公表した。
- 今後はデータの詳細な分析を行い、PMDAと承認申請に向けた折衝を行う予定。

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

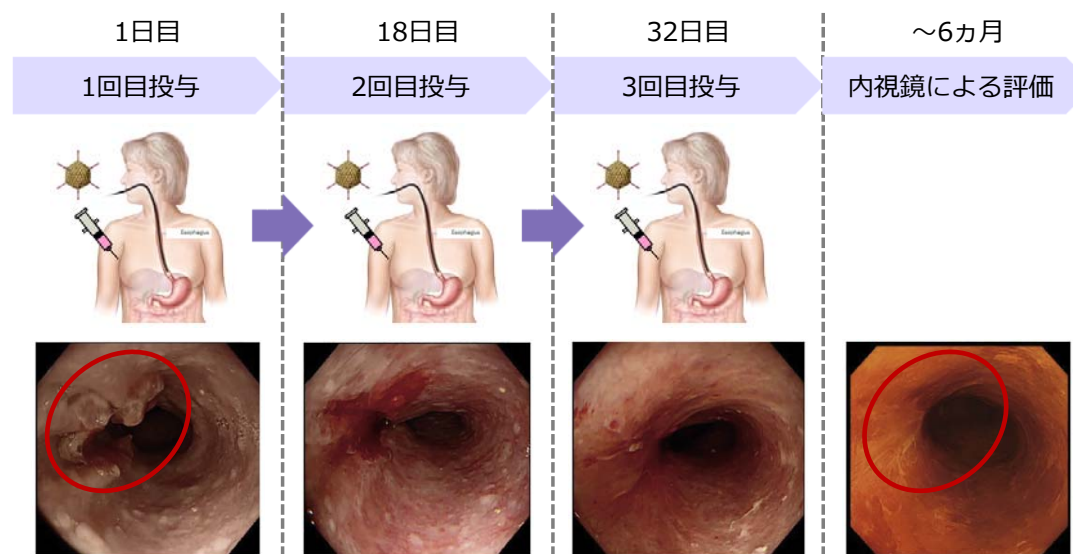
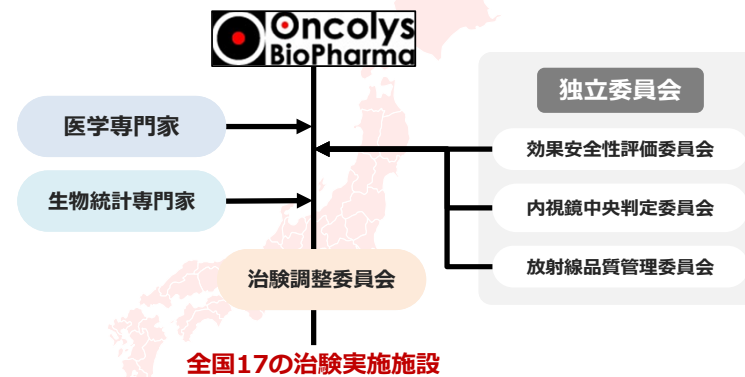
“根治的化学放射線療法の対象にならない患者”

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	



 : テロメライシン投与日

 : 放射線治療日



有効性評価：局所奏効率

局所奏効率

24週 : **58.3%**

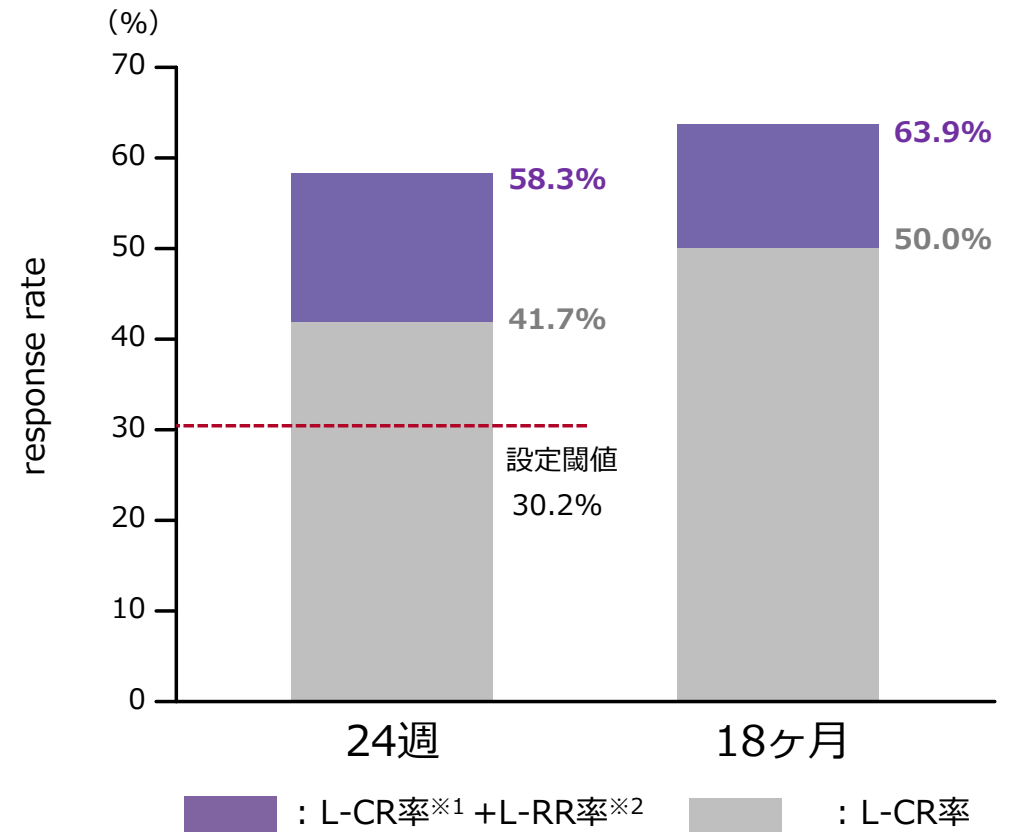
18ヶ月 : **63.9%**

局所完全奏効率

24週 : **41.7%**

18ヶ月 : **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)



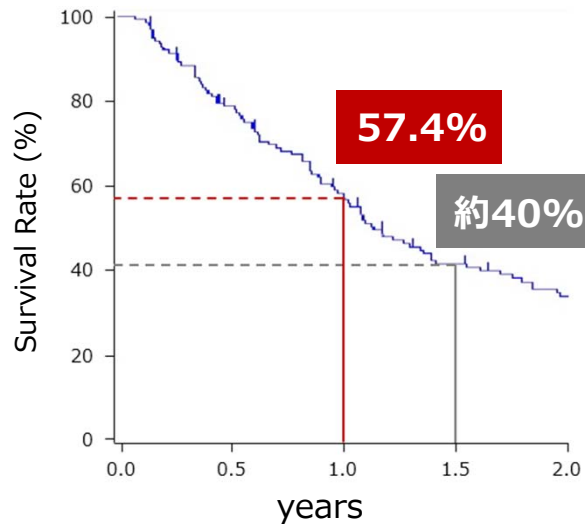
※1 L-CR率 (局所完全奏効率)
※2 L-RR率 (局所著効率)

但し、局所奏効には、『内視鏡観察上はL-CRに相当する所見が得られたが、L-CR判定時の生検病理診断が欠測した症例』を含む。

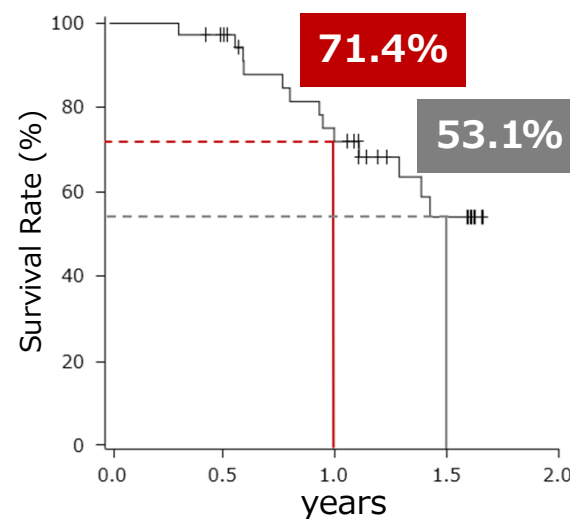
テロメラシンにより局所奏効が確認された症例では、有意に生存確率が高い

Survival Rate

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



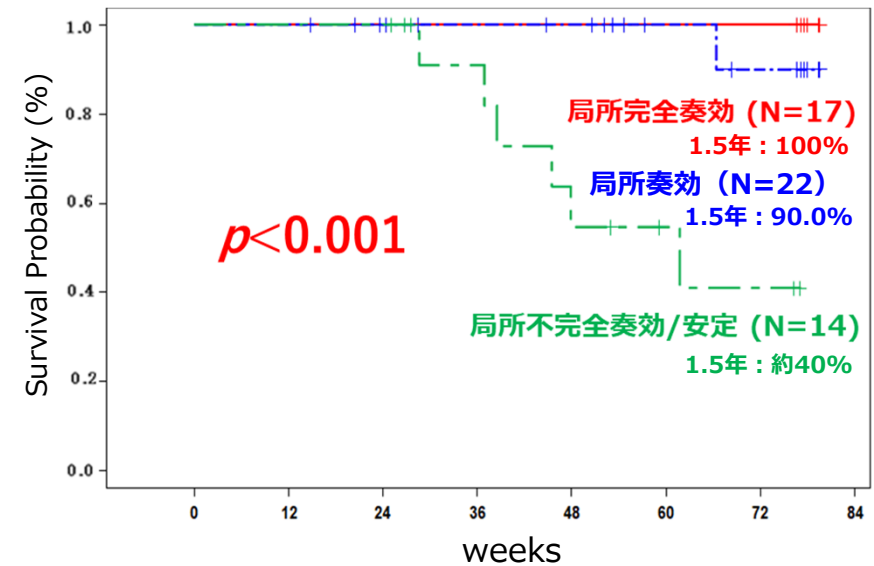
OBP101JP試験
テロメラisin+放射線療法
(N=36)



Cancer-specific survival

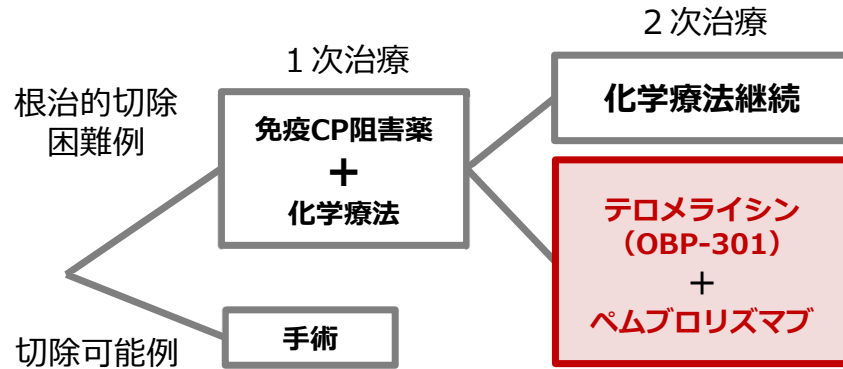
(Follow-up期間を含む)

がん関連生存率

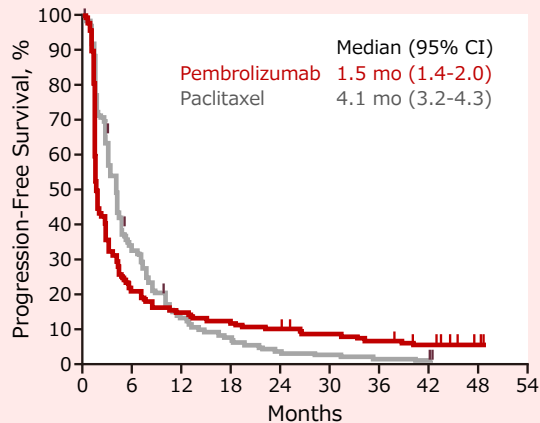


1. 対象症例の75%が80歳以上の高齢者であった
2. 24週目（6ヶ月）の局所奏功率（L-CR+L-RR）は58.3%であった
3. 主要評価項目であった24週目のL-CR率は41.7%であり、目標として設定した30.2%を上回った。
4. 18ヶ月までのL-CR率は50.0%であり、局所奏功率は63.9%であった
5. 18ヶ月時点での全生存率は53%であったが、がんに関連した生存率は70%であり、局所奏功例のがん関連生存率は90%となった。以上より、局所の奏功が患者の生存率を高めた可能性が示唆された
6. 食道がん患者のQoL評価である嚥下障害は71%の患者で改善が認められた
7. 主な副作用は風邪関連症状とリンパ球数の低下であった
8. テロメライシンは高齢な食道がん患者に対して、安全に投与ができた
9. 以上より、テロメライシンは他の治療法がない進行性の食道がん患者に対して、放射線治療との併用により良好な局所治療法となりうる

● 米国の胃がん治療フローと目指す姿



ご参考：KEYNOTE-061 trial



● コーネル大学及びMerck社と共同開発体制を構築

● 治験概要

対象：抗PD-1/PD-L1抗体を含む一次治療に抵抗性のある胃癌・胃食道接合部癌患者

評価項目：

1. 主要評価項目
客観的奏効率
2. 副次的評価項目
病勢コントロール率、奏効期間、全生存期間、無増悪生存期間
3. 探索的評価項目
RNA配列分析による腫瘍-免疫微小環境評価



“製造の現状”

細胞培養

ウイルス感染・増殖

細胞破碎

ろ過

精製

無菌ろ過

製剤化

細胞
拡大培養

細胞のタンク
培養

ウイルス
感染

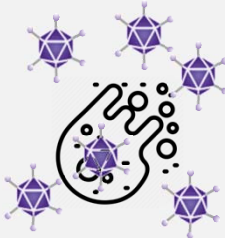
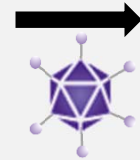
細胞内から
ウイルスを回収

細胞成分
除去

高純度の
ウイルス回収

無菌化

バイアル充填



1. 一部のバイアルで浮遊物の発生を確認
2. ウイルス由来の凝集体と同定
(ウイルス製剤での凝集体の発生は既知)
3. 複数の添加剤を加えることで発生を抑制できる新製剤を開発
4. 新製剤で安定性試験を行う予定



“ビジネスアップデート”

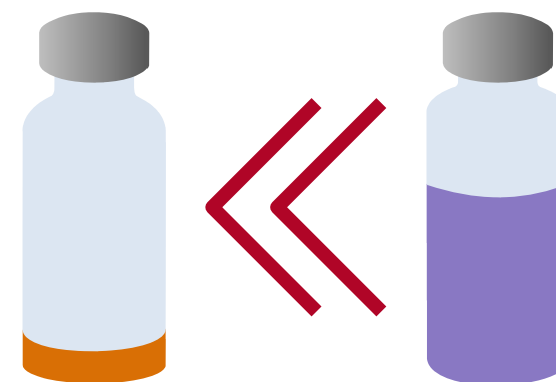
1. 富士フイルム富山化学と販売提携契約を締結した。
2. テロメライシンを富士フイルム富山化学に供給して得る収入は、一般的なライセンス契約で得られる収入より大きくなる可能性がある。

※ テロメライシンの販売収入イメージ



ライセンス収入

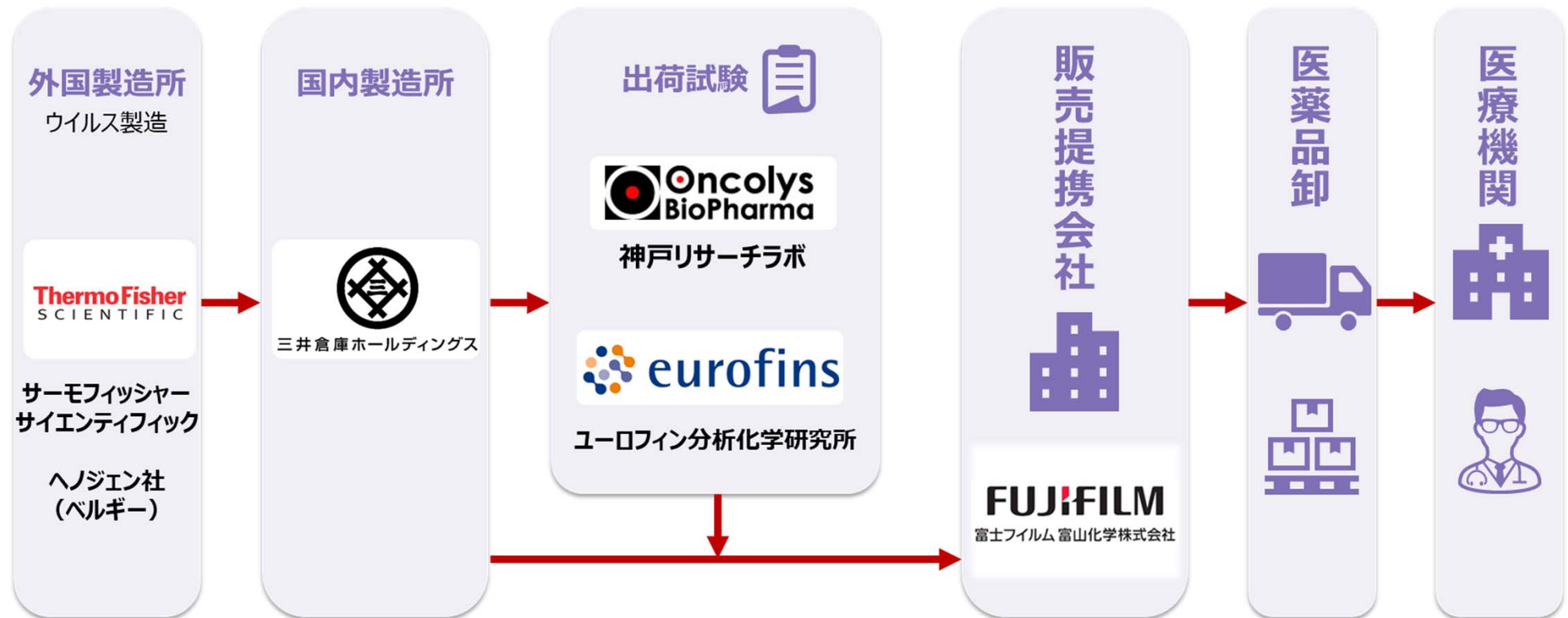
販売収入



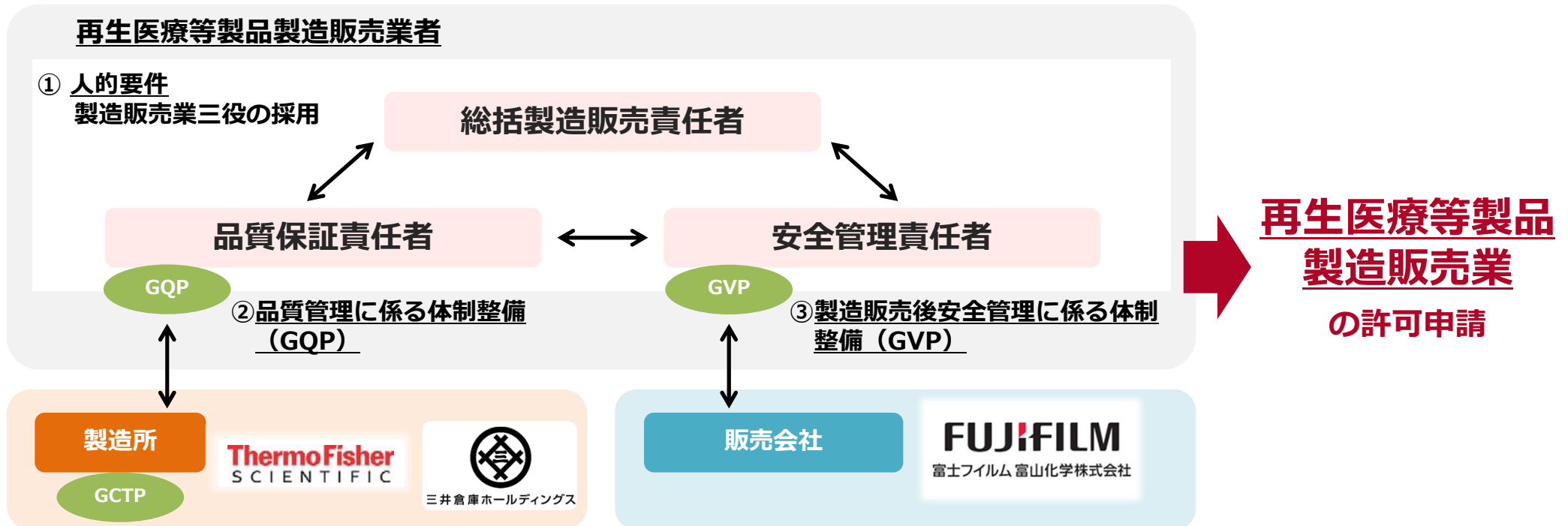
1桁～10%台程度の
ロイヤリティ収入

商用製造法の確立（流通）

1. 三井倉庫HD、富士フィルム富山化学との契約を締結し、外国製造所から医療機関までの流通体制が確立した。



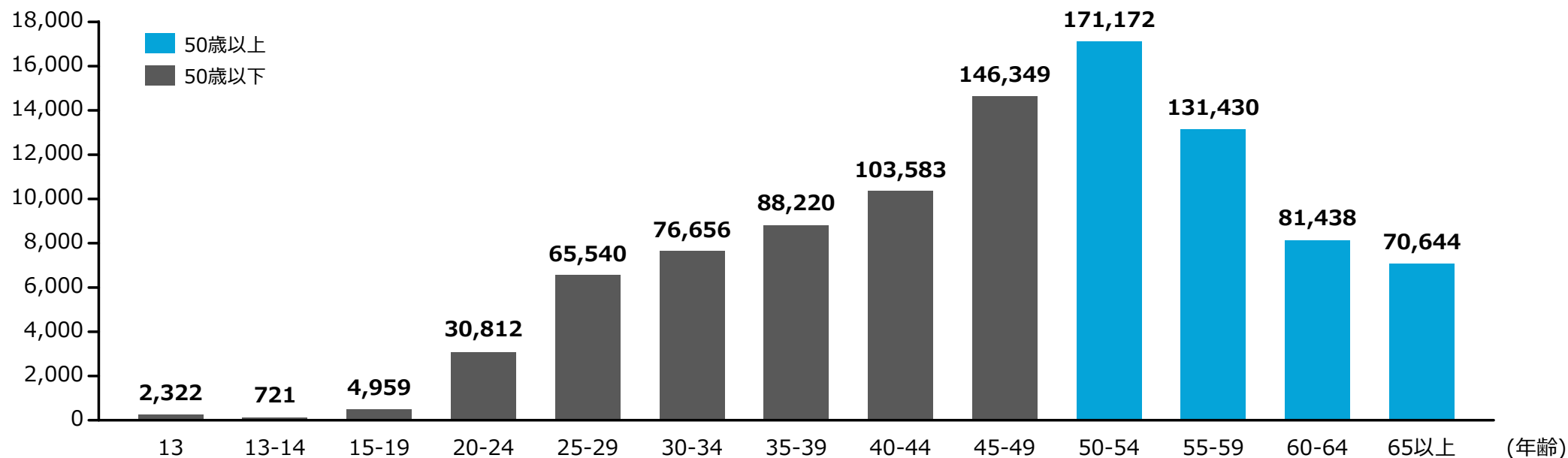
1. 製造販売業三役の採用が完了した。
2. 信頼性保証本部を立ち上げ、患者様が医薬品を適正に使用できる体制構築に着手した。
3. 承認申請までに再生医療等製品製造販売業の許可を受ける方針。



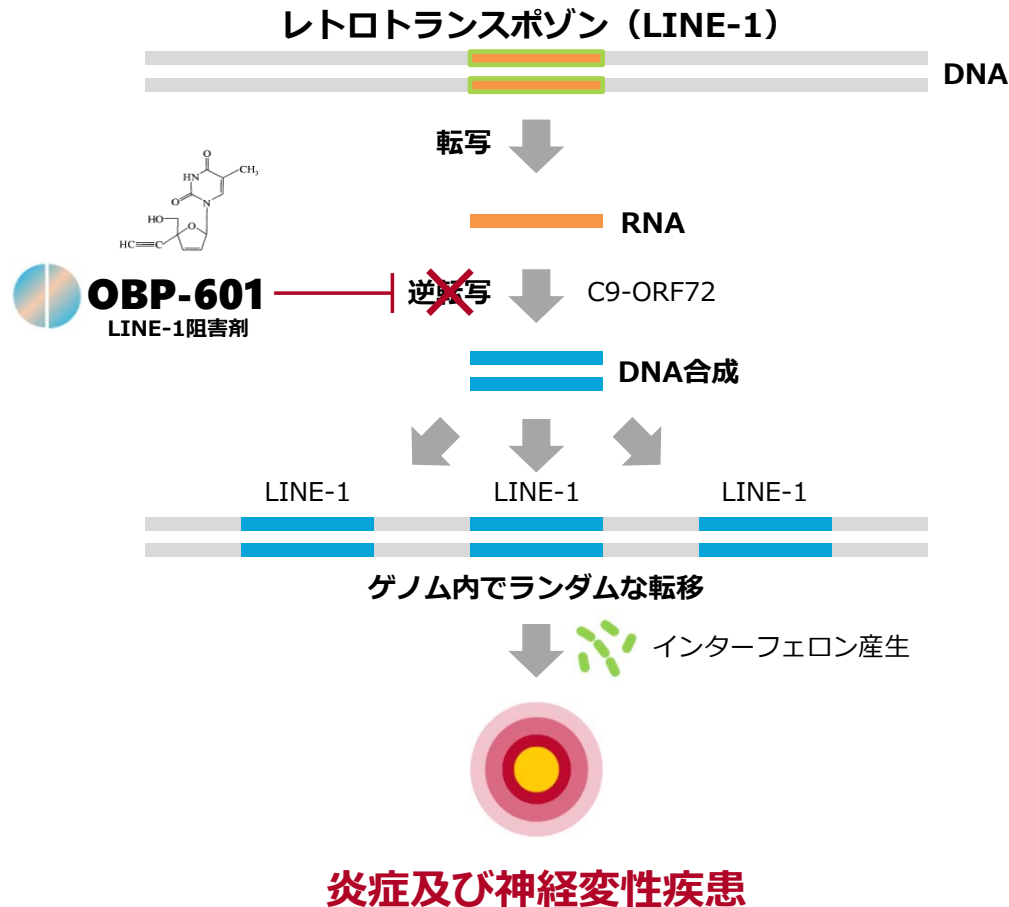
01	会社概要	P. 3
02	テロメライシン suratadenoturev (OBP-301)	P. 9
	censavudine (OBP-601)	P. 24
03	まとめ	P. 41

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



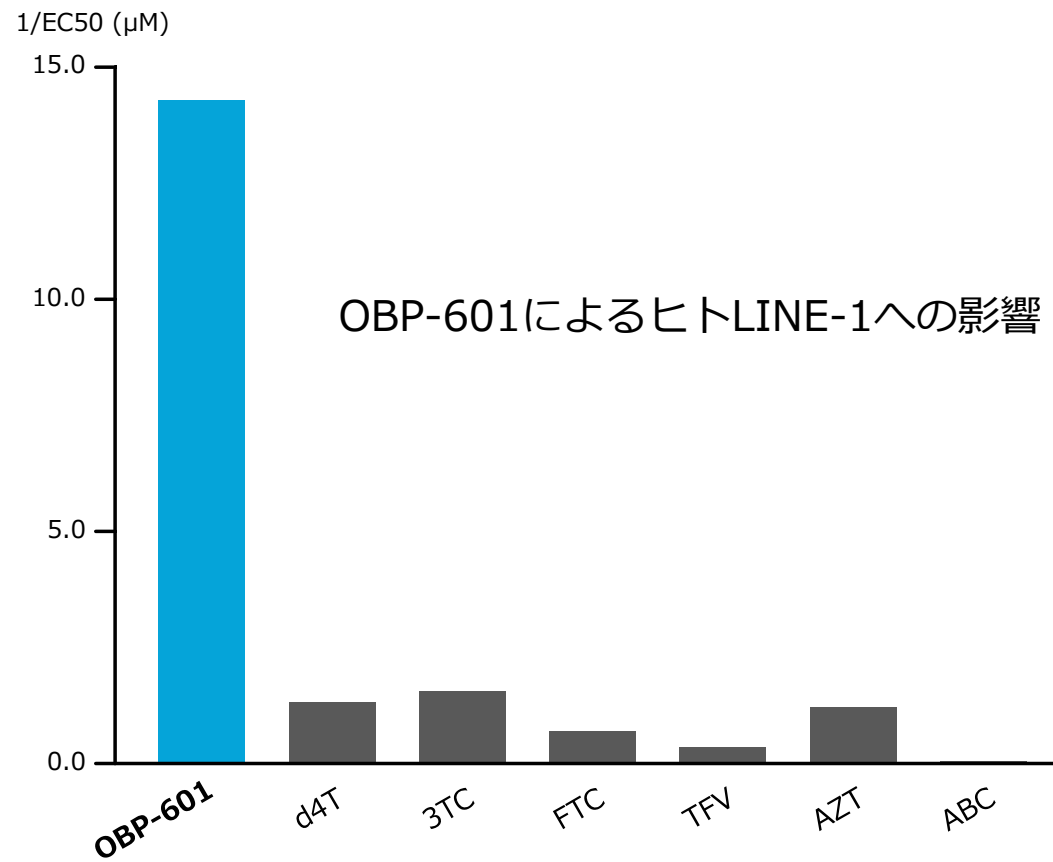
censavudine (OBP-601) の新規メカニズム



1. ヒトのゲノムの約半分は「逆転写酵素」を使って自己複製と増殖を行う可動性のDNA要素「レトロトランスポゾン」である
2. LINE-1と呼ばれる配列は「レトロトランスポゾン」の1つであり、自身の持つ逆転写酵素によりRNAからDNAに逆転写された後、ゲノム内に転移していく性質を持つ
3. 複製されたLINE-1によって、DNAがランダムに書き換えられることにより、DNA損傷等が起こり、神経変性疾患の原因となる

OBP-601は、“LINE-1阻害作用”を有する“新規メカニズム”の薬剤であり、神経変性疾患治療薬としての開発を進めている

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



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

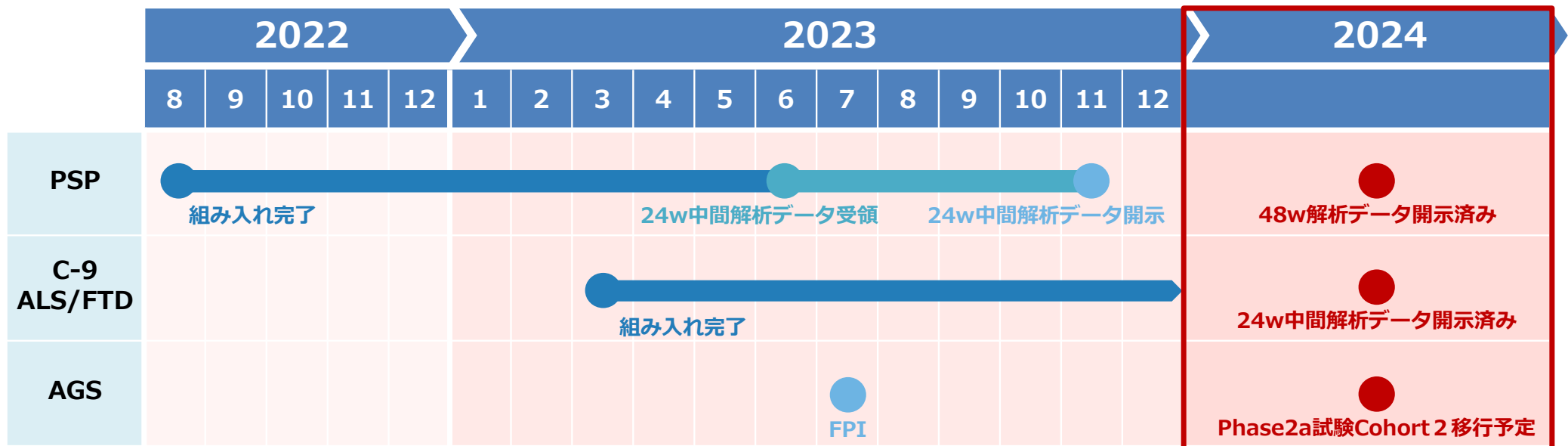


本社：米国Connecticut州, Westport 2019年設立

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. PSP（進行性核上性麻痺）Phase2試験の48w最終解析データを開示した
2. C-9 ALS（筋萎縮性側索硬化症）/FTD（前頭側頭型認知症）Phase2a試験について24w中間解析データを開示した
3. 2024年上半期に、AGS（アイカルディ・ゴーティエ症候群）Phase2a試験のCohort 2へ移行予定



※：但し、OBP-601に関するデータの開示はTransposon社の合意が得られた場合に限る。

1. 第18回 国際アルツハイマー・パーキンソン病学会で報告した

AD/PD™ 2024
ADVANCES IN SCIENCE & THERAPY

開催地：リスボン

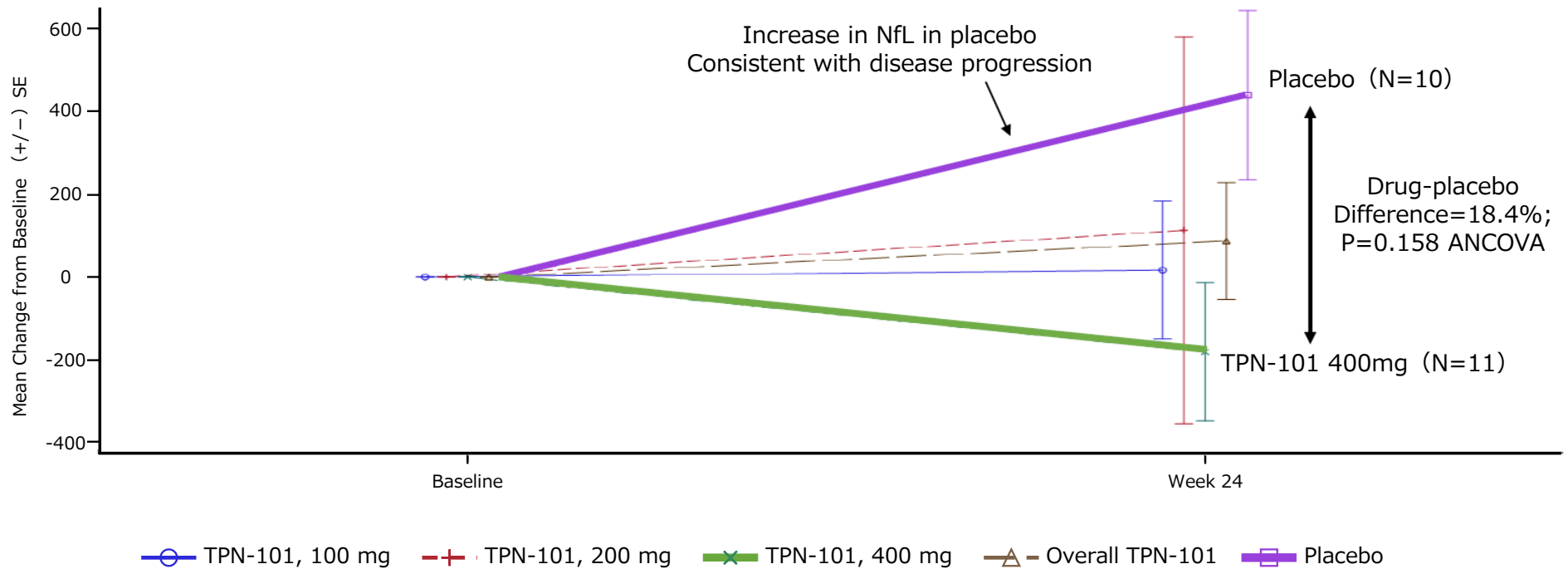
期間：2024年3月5日（火）～3月9日（土）

- ① 中間（24週）解析データでは、OBP-601は、神経変性疾患の主要な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 OBP-601は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。

NfL_{CSF} 変化量 (24w)

OBP-601 (TPN-101) 400mgはNfL_{CSF}を減少させ、神経変性疾患への効果が示唆された

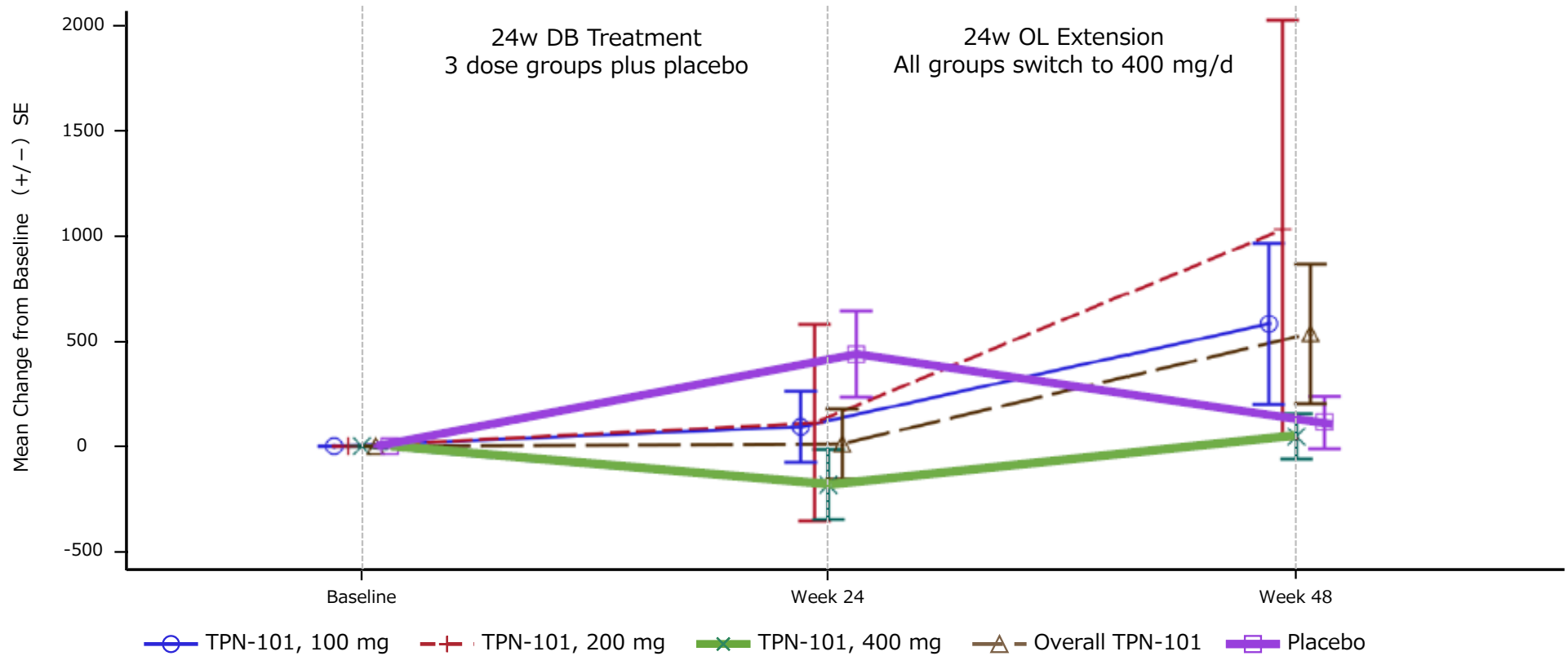
NfL_{CSF} (pg/mL) Mean Change from Baseline



注：本発表はトランスポゾン社の了解を得ています。

NfL_{CSF} 変化量 (48w)

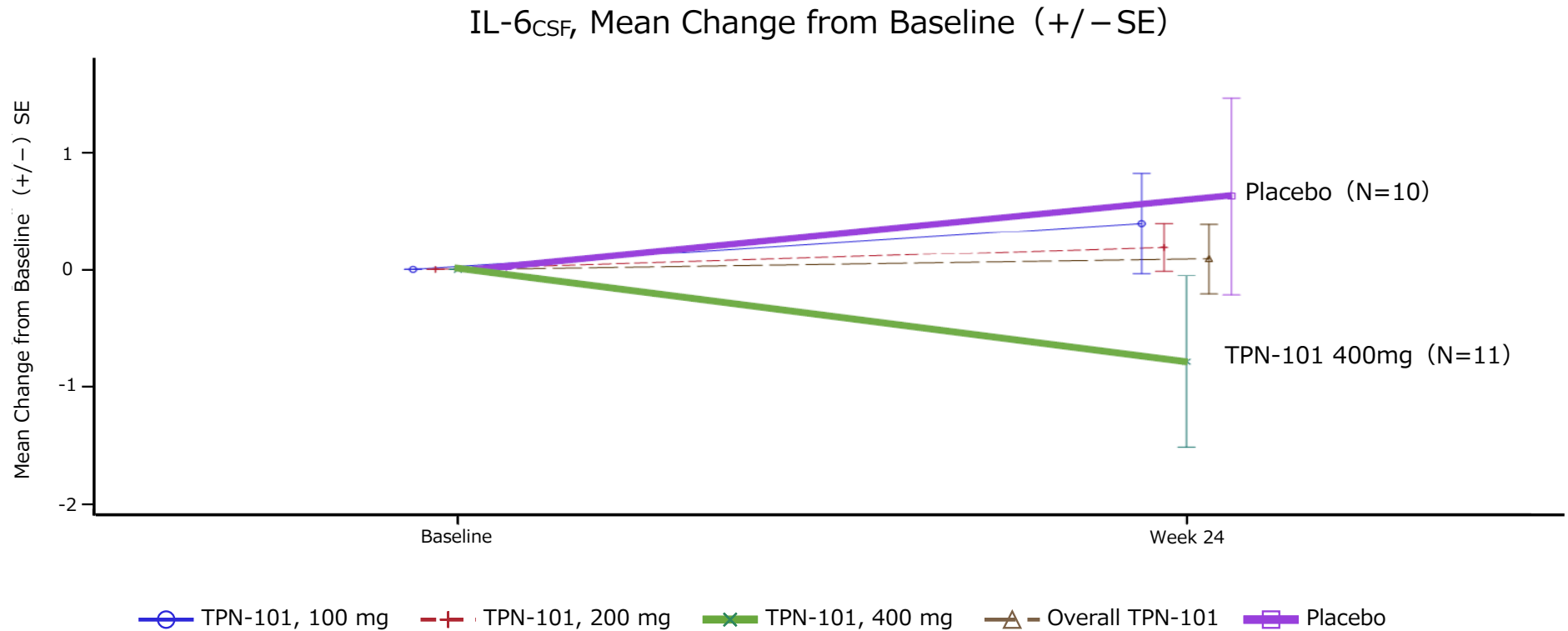
400mg投与群では、48週後においてもNFL_{CSF} 値が上昇が認められず安定していた



注：本発表はトランスポゾン社の了解を得ています。

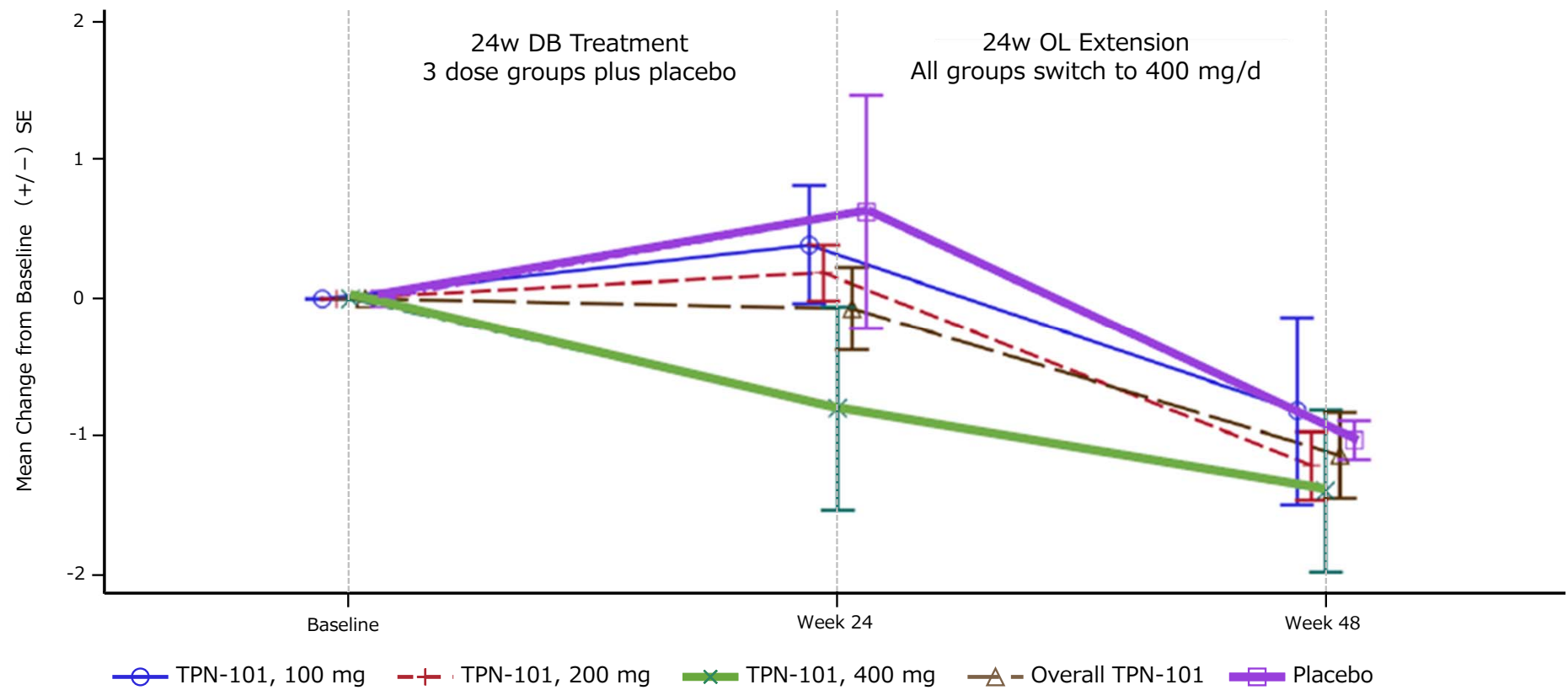
IL-6_{CSF} 変化量 (24w)

プラセボ群でIL-6_{CSF}を上昇させた一方で、OBP-601 (TPN-101) 400mgはIL-6_{CSF}を減少させた



IL-6_{CSF} 変化量 (48w)

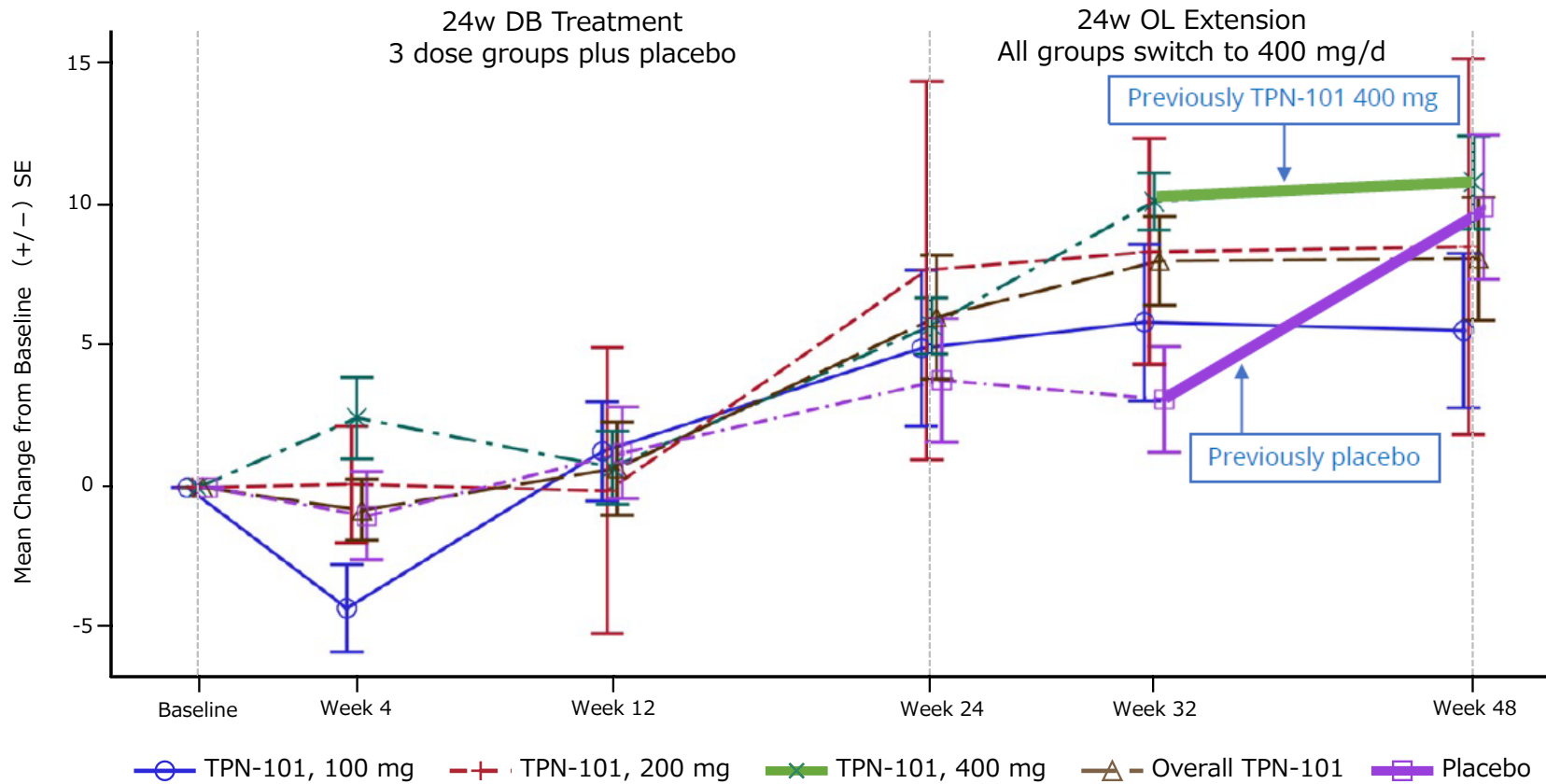
48週のデータでは、全ての投与群においてIL-6_{CSF} 値の減少が確認された



注：本発表はトランスポゾン社の了解を得ています。

進行性核上性麻痺評価尺度 (PSP Rating Scale)

28項目のPSP Rating Scaleの検討により、24w~48wにおいてPSPの臨床症状が安定化することが示唆された



注：本発表はトランスポゾン社の了解を得ています。

1. 平均年齢69歳、平均罹病期間3.8年のPSP患者42例がこの試験に組み込まれた
2. この試験は二重盲検試験で実施され、6ヶ月間の投与の後、全症例がOBP-601の400mg投与に切り替えられて6か月間フォローアップされた
3. OBP-601はPSP患者に対して忍容性を示し、重篤な副作用は意識消失（1例, 100mg群）であった
4. 脳脊髄液中のNfLは400mg投与群では持続的に低下を示したが、プラセボ群では24週にかけて上昇し、フォローアップ期間に400mgに切り替えられて低下を示した
5. 脳脊髄液中のIL-6も同様の変化を示した
6. 日常動作スケール（PSPRS）ではOBP-601は症状の悪化を遅らせた
7. OBP-601は脳内のLINE-1を抑制することによって、神経の炎症による神経破壊を抑制して、病態の進展を抑制することが示唆された

1. OBP-601は、投与開始から24週までに、神経変性、炎症性神経変性及びマイクログリア活性化を反映するバイオマーカーである脳脊髄液中のNfL、tau、UCHL1、YKL-40、及びオステオポエチンの値の上昇を抑制させた
2. また、ALS患者の死亡と相関する客観的な呼吸機能評価尺度である肺活量（Vital Capacity）において、早期の臨床効果が認められた
3. 最も重要なことは、C9orf72関連のALSやFTDはアルツハイマー病と同様の中枢神経系の病理所見を示すことが知られており、今回のバイオマーカーの変化はアルツハイマー病への応用を示唆する結果となったことである

01	会社概要	P. 3
02	テロメライシン suratadenoturev (OBP-301)	P. 9
	censavudine (OBP-601)	P. 24
03	まとめ	P. 41

2024年にご期待頂きたい事項



達成

- 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) オーフアン申請

- 2 商用製造の1バッチ完了

- 3 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のペムブロリズマブ併用胃がんPhase2臨床試験の開始

- 6 PSP（進行性核上性麻痺）Phase2a 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）Phase2a 中間（24週）解析データ開示

※：但し、OBP-601に関するデータの開示はTransposon社の合意が得られた場合に限る。

“オンコリスの未来像”



オンコリスの未来像 <テロメライシン>



“世界初の腫瘍溶解アデノウイルス製剤” であるテロメライシン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%

承認取得

市場浸透

5年間※1
累積売上高
48~135億円

追加投与

他癌腫への
適応拡大

適応追加
(ex食道閉塞、
ケモラジ併用)

10年目までに
テロメライシンによる
年間売上高

100億円
を目指す

1. 会計期間ごとの見通しを開示しない理由

2023年2月の富士フイルム富山化学との販売提携契約の締結を受けて、今後同社のテロメライシン出荷計画に基づく当社への製造委託に基づき、テロメライシンは出荷されます。

現時点では同計画が確定していないため、会計期間ごとの見通しを開示を控えています。

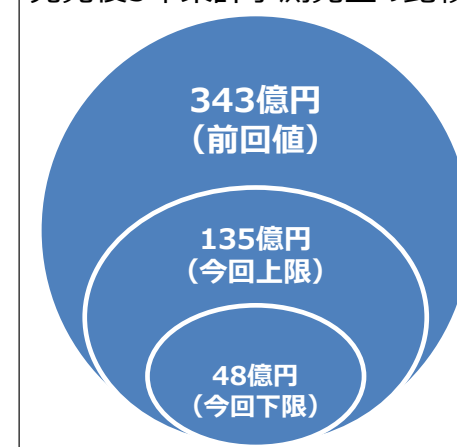
2. 2023年3月に開示した「事業計画及び成長可能性に関する事項」と売上予測が異なる理由

臨床試験の対象の放射線治療stage II/III食道がん患者数のみを下限としたため、手術拒否患者などへの拡大を前提にした2023年3月の「事業計画及び成長可能性に関する事項」と比較して、5年間の売上予測の下限を前回は13%で見込みました。

また、市場は大きいが高額な臨床試験費用の発生が見込まれる「放射線化学療法の食道がん患者」への適応拡大の優先順位を引き下げ、相対的に廉価な臨床試験費用で実施可能な他の領域の適応拡大を想定したため、販売開始後5年間の累計市場の上限を前回は39%で見込みました。

2023年3月に開示した「事業計画及び成長可能性に関する事項」では「放射線化学療法併用（適応拡大）で年商250億円を目指す」と記載していましたが、この度の開示においては保守的に売上を予測しているため、年商250億円を変更し、年商100億円としました。

発売後5年累計予測売上の比較



3. 詳細な売上予測の開示予定時期

詳細な売上予測は、テロメライシンの薬価基準収載後に、医療現場への供給予想数量を富士フイルム富山化学と検討したうえで、開示する計画です。なお、当社は費用対効果を十分に勘案しながら、テロメライシンの価値最大化を目指し、医療現場に貢献する方針です。

1. Transposon社は、現在“End of Phase 2 会議”をFDAと実施する準備を進めている
2. FDAから “Goサイン” が出ればPhase 3を開始することができる
3. 希少疾患における大規模なPhase 3 試験、アルツハイマー病を始めとする市場規模の大きな疾患を対象とした臨床試験を実施するにあたり資金需要が高い
4. 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

<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

ご参考：中枢神経領域以外における近年の大型ライセンス



発表	ライセンス獲得	ライセンス提供	一時金	総額	対象・Phase	種類
2023.12	BMS	米Systemimmune	1200億円	1兆2600億円	癌・Phase 1	抗体
2023.1	武田	香港Hutchmed	600億円	1695億円	癌・Phase 3終了	低分子
2023.7	Roche	米Alnylam	465億円	4665億円	高血圧・Phase 2	RNAi
2023.10	Sanofi	イスラエル Teva	750億円	2250億円	潰瘍性大腸炎・Phase 2	抗体
2023.9	AstraZeneca	中国Eccogene	277億円	3015億円	肥満・糖尿病	低分子
2023.12	GSK	中国Hansoh	277億円	2565億円	癌・Phase 2	抗体
2022.12	米Summit	中国Akeso	750億円	7500億円	癌	二重抗体

※ 1ドル150円換算

T社ビジネス成果のOBPへの還流を期待する



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などの
T社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後も契約は継続し、総額3億ドルは順次支払われる

③契約一時金やMS収入/株式買収代金
などが発生する

希少疾患領域で
プレゼンス確立

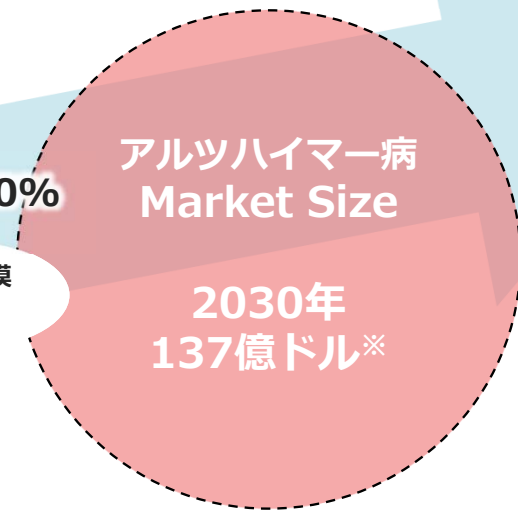


適応疾患の
拡大



CAGR20%

市場規模
の拡大



※Market Size : Global Data社

「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。

**ライセンス型
事業モデル**



**製薬会社型
事業モデル**





Powering Future Oncotherapy

—— Oncolys BioPharma

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