

オンコリスバイオフーマ株式会社

(4588 Growth) 発行日 2025 年 10 月 1 日

承認申請に向けたラストスパートと脳神経領域でピボタル試験開始予定

テロメライシン® 承認申請に向けてラストスパート

オンコリスバイオフーマの主力開発品(OBP-301)は、テロメライシンという遺伝子を改変した腫瘍溶解ウイルスである。オンコリスバイオフーマ独力での製品化に向けて、国内においては食道がんに絞って、臨床開発を推進しており、2025 年内に、承認申請目指して全速力で準備が進められており、現時点ではラストスパートの段階にある。既に 2025 年 8 月までに、「臨床」・「非臨床」・「品質」・「GCTP」・「信頼性」の 5 つのすべてに分野で「総合評価」相談に入った。また 9 月 30 日に国内オーファン申請も行った。「臨床」の分野では、課題であった放射線単独療法との比較もクリアし、当局から「確認書」が得られる見込みが高まっている。また、再生医療等製品の製造販売業の許可済で、サプライチェーンの準備も進展している。今後、「臨床」・「非臨床」・「品質」の 3 つの分野で当局から「確認書」が得られ、他の 2 分野でも一定の目処がつけば、申請可能と見られ、予定通り 2025 年内の承認申請に到達できると考えられる。

承認・上市後も視野に入れた資金調達

2025 年内に承認申請を行った場合、順調にいけば、2026 年半ばに承認され、その後 2 カ月程度、原価構造や画期性の精査などが行われ、2026 年後半には、薬価収載及び販売開始に至る予定である。そして、オンコリスバイオフーマでは、販売開始後も視野入れ、①安定供給体制を万全にすること(国内輸送・国際輸送での温度管理体制のシステム構築、加えて在庫切れを回避するため販売後 3 年間で 10 ロットほどの製造)、②テロメライシン®適応拡大(食道がん化学放射線(CRT)併用療法や肛門・直腸がん放射線(RT)併用療法)のための試験や「食道がん局所療法研究会」の運営、③市販後の臨床試験や全例調査の準備を始めている。これらの費用を賄うため、オンコリスバイオフーマは、第 21 回新株予約権を発行し、約 27 億円の資金を調達することとした。「創業ベンチャー」から「製薬会社」へ進化し、より一層、企業価値を高めるために必要なファイナンスと位置付けられる。

脳神経変性疾患薬 OBP-601 複数のピボタル試験が開始予定

OBP-601 は選択的スプライシングを制御し LINE-1 の生成を抑制する LINE-1 阻害剤である。既に、2024 年 10-12 月期には、導出先のトランスポゾン社によって、PSP や C9-ALS といった神経変性疾患での Phase2a 試験で有効性/安全性が確認された。トランスポゾン社では PSP を対象とした Phase3 (ピボタル試験)のために資金調達とパートナーリングの模索中で、2025 年 10-12 月期には開始の予定である。また、ヒーリーALS プラットフォームを活用して C9-ALS 以外の ALS も含んだ ALS 全般を対象とした大規模な Phase2/3 (ピボタル試験)を 2025 年 10-12 月期中に開始する予定である。さらに、アルツハイマー病創薬財団から約 500 万ドルの資金を得て、アルツハイマー病を対象とした Phase2 試験を 2025 年内に開始する予定である。複数のピボタル試験の開始により、トランスポゾン社からオンコリスバイオフーマへのマイルストーンが発生する見込みである。また、これまでの成果やアルツハイマー病への対象拡大で、トランスポゾン社への注目が一層高まっており、CNS 領域を物色している大手製薬会社の M&A やライセンス契約等の対象となることも考えられる。これらのコーポレートアクション発生の場合、オンコリスバイオフーマへ想定外のマイルストーンが発生する可能性があることにも留意しておきたい。

業績動向	売上高 百万円	前期比 %	営業利益 百万円	前期比 %	経常利益 百万円	前期比 %	当期純利益 百万円	前期比 %	EPS 円	年度終値株価 円	
										高値	安値
2022/12 通期実績	976	51.9	-1,204	NA	-1,163	NA	-1,148	NA	-66.3	685	474
2023/12 通期実績	63	-93.5	-1,929	NA	-1,913	NA	-1,938	NA	-108.9	836	508
2024/12 通期実績	61	-50.2	-1,681	NA	-1,663	NA	-1,684	NA	-77.1	905	463
2024/1-6 月期実績	31	-50.2	-793	NA	-752	NA	-754	NA	-36.9	789	492
2025/1-6 月期実績	28	-9.0	-1,267	NA	-1,311	NA	-1,313	NA	-52.8	781	471

フォローアップ・レポート

フェアリサーチ株式会社

鈴木 壯

会 社	概 要
所 在 地	東京都港区
代 表 者	浦田 泰生
設 立 年 月	2004 年 3 月
資 本 金	2,744 百万円
上 場 日	2013 年 12 月
U R L	www.oncolys.com
業 種	医薬品
従 業 員 数	40 人(単独)
主要指標 2025/9/30 現在	
株 価	630
52 週高値終値	905
52 週安値終値	471
発行済株式数	25,679 千株
売 買 単 位	100 株
時 価 総 額	16,178 百万円
会社予想配当	0 円
予想当期利益 ベース EPS	NA 円
予 想 P E R	NA 倍
実 績 B P S	57.59 円
実 績 P B R	10.94 倍

(注)EPS、PER、BPS、PBR は
自己株式数除く発行済株式数ベース。

会社概要・経営理念

オンコリスバイオフーマ社は、ウイルス学に立脚した技術で、「がんのウイルス療法」と「重症ウイルス感染症」を対象にした『ウイルス創薬』の展開を目指している

腫瘍溶解薬テロメラシンの開発が創業の原点であり主力品

先駆け審査指定の下、2025 年の承認申請に向けて準備を推進中

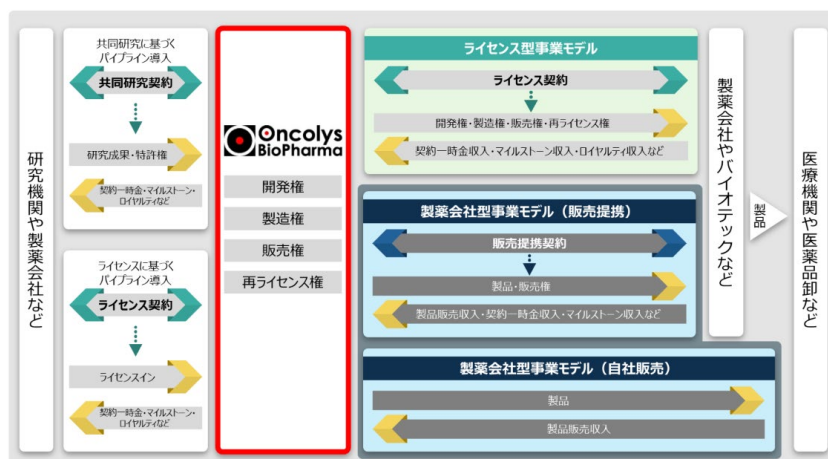
＜ビジネスモデル＞

オンコリスバイオフーマ株式会社（以下、オンコリスバイオフーマ）は、主に、遺伝子を改変したウイルスを用いて、がん（腫瘍）を溶解するという腫瘍溶解ウイルス薬の研究開発を行っていることで注目されているユニークな創薬企業である。

経営理念は、「ウイルス学に立脚した創薬技術を駆使して、がんや重症感染症の治療法にイノベーションを起こし、世界の医療に貢献したい」というものである。従来は、開発した新薬候補を比較的早期の段階でライセンスアウトし、そのライセンス料や上市後のロイヤリティ収入で収益を獲得するビジネスモデル（ライセンス型事業モデル）となっていたが、現在では、製薬企業として承認まで自社開発し、販売は他社と販売提携する計画のパイプライン（テロメラシンの）もあり、ライセンス型事業モデルと製薬会社型事業モデルのハイブリッド型へ、ビジネスモデルも高度化している。

オンコリスバイオフーマで最も事業化が進行しているのは、岡山大学の藤原俊義教授からアイデアを得た、アデノウイルスを基とした腫瘍溶解ウイルス薬のテロメラシンの®（OBP-301）である。2019 年、切除不能な食道がん対象の放射線併用療法で先駆け審査指定を獲得し、一時、中外製薬へライセンスアウトしたが、2021 年ライセンス契約は解消されることとなった。しかし、承認まで自社で開発を推進する製薬会社型事業モデルで開発を進めている。2023 年 10 月 16 日には、次節で詳述するように、ピボタル試験の結果として、臨床的に意義のあるトップラインデータが公表された。また、社内体制や供給体制の整備を行ってきた。現在は、当局（PMDA）と「先駆け総合評価相談」に向けて、全力で準備を進めている。2025 年前半には「総合評価」が開始され、2025 年中の承認申請が可能と見込まれる。

一方、もともと HIV の薬剤として導入し開発していた OBP-601 は神経変性疾患を対象とした薬剤として、米国トランスポゾン社へ導出し開発が進んでいる。こちらの方は、ライセンス型事業モデルである。



（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会 2025 年 8 月

主力品は自社開発中のテロメライシン

その後継候補が OBP-702

OBP-601 は神経変性疾患を対象とした薬剤として米国企業へ導出中

I 主要パイプライン

オンコリスバイオファーマの主要なパイプラインは、固形がんを対象とした腫瘍溶解ウイルスのテロメライシン®(OBP-301)及びその後継品候補(特に OBP-702)である。ウイルス感染症の領域では、前述のウイルス感染症の治療薬候補 OBP-2011(OBP-2001 の後継品)が開発中である。HIV 感染症治療薬の OBP-601(センサブジン)は、現在では感染症ではなく、神経変性疾患を対象とした薬剤候補として米国 Transposon 社(以下、トランスポゾン社)へ導出されている。また、テロメライシン®を応用した検査薬として、がんの早期発見、転移・再発の発見を目的としたテロメスキャンの開発が行われている。

以下では、1.OBP-301(テロメライシン®)、2.OBP-601 の現況について概観していきたい。

パイプライン一覧

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	Phase 1 実施中		富士フイルム富山化学と販売提携	先駆け総合評価相談を実施中	
	胃がん	オーファン指定	Phase 1 実施中				
	肝細胞がん		Phase 1 実施中				
OBP-601	PSP※1		Fast Track指定		Phase3準備中	TRANSPOSON 導出済	
	C9-ALS※2/FTD※3				Phase2/3準備中		
	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	臨床研究 実施中		臨床性能試験			

※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・ゴートイ症候群

(出所)オンコリスバイオファーマ社

*1 進行性核上性麻痺 *2 C9-筋萎縮性側索硬化症 *3 C9-前頭側頭型認知症

(注1)OBP-702 は、岡山大学での医師主導治験(Phase1)が 2025 年 3 月 AMED 助成事業(2025 年 4 月～2028 年 3 月)に採択され 2026 年から治験が開始される予定

(注2)上図以外に OBP-801 もある。これは、アステラス製薬より 2009 年 10 月に導入した HDAC(ヒストン脱アセチル化酵素)阻害剤である。HDAC 活性を抑制することによりがん抑制遺伝子の発現を促すエピジェネティックがん治療薬として研究開発を進めてきたが、米国での Phase1 試験で副作用が出たため、がん領域での開発を中断した。一方、2016 年 8 月より、京都府立医科大学と眼科領域での可能性を研究(前臨床段階)されている。緑内障手術による濾過胞形成術後の線維化抑制機能が明らかとなり、2023 年 4 月に学会で研究結果が発表された。点眼剤としての開発が期待されている。また、2024 年 7 月、「緑内障治療後の濾過胞線維化抑制」と「加齢黄斑変性症」に関する用途発明が日本で特許査定を受領している

なお、肝細胞がんを対象とするテロメライシン(OBP-301)の開発は、Phase1で安全性が確認されているが、食道がんや胃がんの開発を優先するため休止中である。

テロメライシン®は、副作用も少なく、食道がんで**局所の完全奏効**が期待できる

国内では、先駆け審査指定の下、2025 年内の承認申請に向けて、食道がん対象の放射線併用療法の開発が進行中

1.テロメライシン®(OBP-301)

(1)テロメライシン® 国内承認申請に向けた準備状況

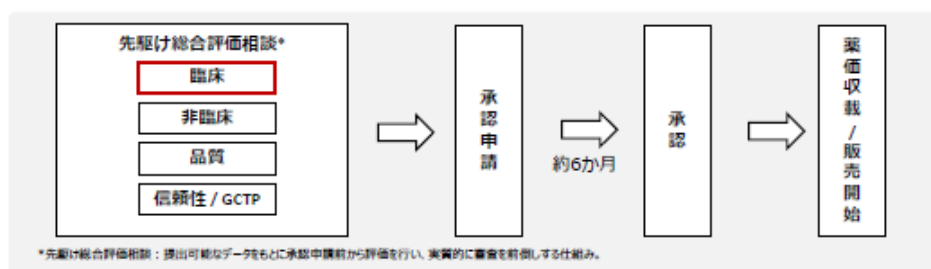
テロメライシン®は、現在、日本国内と米国で臨床試験が行われている。主戦場は、食道がんである。アジア全体で 60 万人以上の患者が存在するが、食道がんの部位の特性から手術は侵襲が大きく、これまでの免疫チェックポイント阻害剤、分子標的薬、化学療法では、全身性の奏効はあっても、**局所的な完全奏効(L-CR)**の達成が困難ながん種である。具体的に言うと、食道がんなどでは「食道のつまり」による嚥下障害が発生しがちであり、免疫チェックポイント阻害剤や化学療法のみでは解決できず、テロメライシン®を併用することで解決することが出来る。

食道がんを対象とする放射線(RT)併用療法

現在、オンコリスバイオファーマは、国内にて、食道がんを対象としたテロメライシン®(OBP-301)と放射線の併用療法を、先駆け審査指定の下、承認申請をすべく、準備に全力を傾けている。

A. これまでの経緯

当初、2024 年以内に、当局(PMDA)との事前相談のうえ、新薬承認申請を行う予定であった。しかし、2024 年 12 月 19 日、2025 年の上期に「事前相談」から「先駆け総合評価」段階に移行し、およそ半年の審査期間を経た後、申請を行う見通しに変更された(変更の背景に関しては後述の参考参照)。



1. 臨床データ
⇒先駆け総合評価相談の開始をPMDAと合意した。2025年上半期に開始する。
2. 非臨床、CMC（品質）、信頼性/GCTP
⇒順次、先駆け総合評価相談を開始する。
3. オープン申請
⇒先駆け総合評価相談の進展と並行して、オープン申請を行う。

2025年12月期の国内承認申請を目指す

(出所) オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 2 月

(注) 先駆け相談は「臨床」・「非臨床」・「品質」・「信頼性」・「GCTP(再生医療等製品の製造管理及び品質管理)」の 5 項目に関する資料の PMDA の評価などを受けて、円滑な承認申請への移行を目指すシステム

各分野で順調に先駆け総合評価相談が進行中	(参考)2024 年に発生した再生医療等製品を巡る事象 申請方針の変更の背景には、2024 年に発生した再生医療等製品を巡るいくつかの事象が影響しているものと推察される。 ① サンバイオ社の細胞医薬「アクーゴ脳内移植用注」の商用製造に関する問題である。アクーゴは 2019 年 4 月に「先駆け審査指定」を取得し、2022 年 3 月に新薬承認申請を行ったものの、収率など製造上の問題などから、なかなか承認が下りず、2024 年 7 月にようやく、条件付きで承認された。その条件には、承認までに 2 回程度の製剤製造を行い、同質性/同等性を確認することも含まれており、承認されたものの、当面製剤の出荷が許可されないという事態となった。その後 2 回の製剤製造では条件は達成できず、3 回目の製造で条件を達成し出荷解除の条件が整った。これにより、2025 年 6 月、一部変更承認申請まで到達したところである。 ②2024 年 6 月、アンジェス社が期限付き条件付きで承認されていた再生医療等製品「コテラジェン」に関し、2023 年に正式申請を行っていたにもかかわらず、自ら申請を取り下げ、市販を中止するという事象が発生した。理由としては、市販後の臨床試験において承認申請に用いた臨床試験と同等の結果が得られなかったこと、さらに、適応症を変更した米国での臨床試験の途中経過が順調なことから、適応症等を変更して開発に切り替える方針が浮上したことが挙げられている。 ③2024 年 7 月には、テルモ社の再生医療等製品「ハートシート」が市販後の臨床試験で、承認申請に用いた臨床試験と同等の有効性が得られなかったことにより、正式承認が得られなかった。 このような事象を背景に、再生医療等製品の早期承認制度の在り方に論議を巻き起こし、事前相談だけではなく、さらに市販後の臨床試験計画の詳細まで審査に含めた「総合評価」を実施するということになったものと推察される。 B. 先駆け総合評価相談の進展状況 方針の変更後は、承認申請に向けて順調に先駆け総合評価相談が進展している。 ○2025 年 3 月 18 日「先駆け総合評価相談開始」を公表 「臨床」項目に関する先駆け総合評価相談が開始 ○2025 年 5 月 13 日「非臨床」項目に関する先駆け総合評価相談が開始 「非臨床」項目とは主に動物実験でのデータ ○2025 年 5 月 23 日「品質」項目に関する先駆け総合評価相談が開始 原薬や製品製造、それに関連する試験結果等のデータ ○2025 年 6 月 24 日「GCTP(再生医療等製品の製造管理及び品質管理)」に関する先駆け総合評価相談が開始
-----------------------------	--

9 月 30 日にオープン申請

今後も順調に進行すれば、
年内の承認申請は可能
すると来年半ばには承認
の可能性

(注)GCTP(Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice)とは、通常の医薬品の GMP に相当するもので、日本の再生医療等製品に特化した製造管理及び品質管理の基準である。従来の GMP では対応できない細胞や組織等特有のリスクに対応するため導入された。(製造工程では細胞等のトレーサビリティが重視される。また無菌性の保証や交差汚染の防止など従来の医薬品とは異なる管理が求められる)

○2025 年 8 月 5 日「信頼性」に関する先駆け総合評価相談が開始

(注)「信頼性」とは、品質試験、非臨床試験、臨床試験が、各信頼性の基準に従って行われたかの確認。提出された審査資料と原資料や記録との整合性のチェック。

上記のように、2025 年 8 月上旬までに、全 5 区分で先駆け総合評価相談が進行する状態に入った。また、9 月 30 日に希少疾病用再生医療等製品(「オープン」)指定申請を行った。今後、厚生労働省の審査や薬事審議会へ諮問を経て、2026 年の 1-3 月にオープン指定を獲得できる見込みである。オープン指定により、承認後 10 年間後発品の申請が認められないほか、薬価にも好影響をもたらすと考えられる。今後も順調に推移すると、年内に承認申請が可能である。また、先駆け指定品目であることを踏まえると、2026 年半ばには承認が得られる可能性が高い。承認後約 2 カ月で、原価の精査及び画期性加算の検討等を経て、薬価収載が行われ、収載後は直ちに販売が開始されると想定される。

	事前相談	先駆け総合評価	承認申請	承認	薬価	発売
臨床			2025年末 を目指す	2026年半ば (見込み)	承認+2カ月 (見込み)	2026年下半年 (見込み)
非臨床						
品質						
GCTP						
信頼性						

(出所) フェアリサーチ作成

C.「臨床」に関する進行状況

ピボタル試験(Phase2;「OBP101JP 試験」)は 2022 年 12 月にすべての症例組み入れが完了し、2023 年 10 月 16 日、トップラインデータが公表されている。

OBP101JP 試験は、根治切除手術や化学放射線療法が受けられないような局所進行性の食道がん患者が対象で、有効性評価症例数は 36 例(全例ステージⅡ・Ⅲ)となっている。対象患者数が少ないうえ、過去に放射線単独療法の正式な Study が存在しないため、単群での試験である。このため、当初、有効性の判定は、国内レジストリーデータ(日本食道学会のヒストリカルデータ;ステージⅡ・Ⅲ対象放射線単独)を基に行われ、有効性閾値は 30.2%と設定されていた。

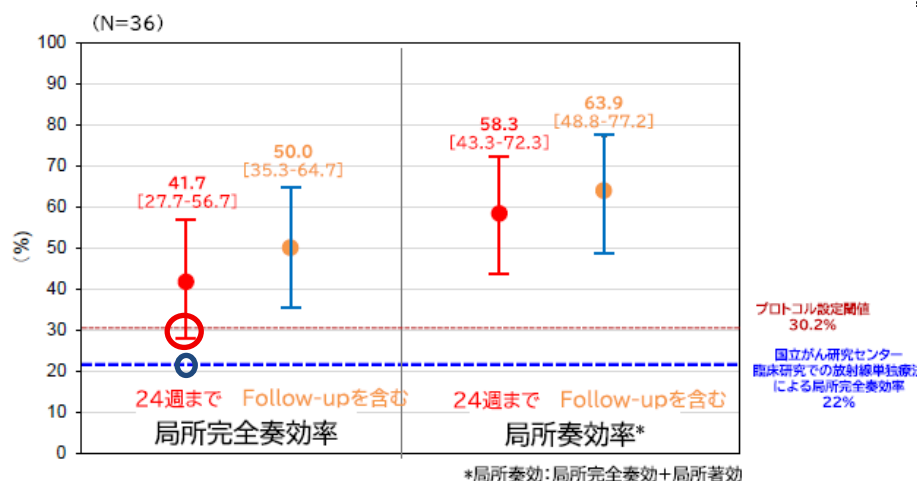
「臨床」に関して、ピボタル試験の結果はきわめて有望な成績であった
局所完全奏効率は 41.7%
レジストリーデータを基に設定された閾値を 10 ポイント以上上回る

発表された OBP101JP 試験の結果は以下の通りである。

① 主要評価項目：局所完全奏効率

内視鏡中央判定委員会の評価による投与 6 か月後の局所完全奏効率は 41.7%に達し、プロトコル設定閾値 30.2%を 10 ポイント以上上回る結果となった。さらに 1 年間観察期間を延長し、長期(18 か月)の効果を見ると、局所完全奏効率はさらに上昇し 50.0%に達している。ただし、6 か月後の局所完全奏効率信頼区間の下限 27.7%がプロトコル設定閾値を下回り(下図赤丸)、手離しで有効性を認定できないという見方もできる。もっとも、後述(注)のように、リアルワールドデータに比べ、今回の試験はより厳しい基準で判定していることは指摘しておきたい。

OBP101JP 試験(Phase2)の有効性



(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

(注)食道学会データの限界と OBP101JP 試験の判定の厳密さ

OBP101JP 試験の評価は、各担当医による評価ではなく、各施設から集積された内視鏡画像を一か所で中央判定し、かつ細胞診(Biopsy)も合わせて奏効を判断している。この判定基準は比較的新しいものである。過去の放射線単独療法のリアルワールドデータ(食道学会のデータ)は、担当医が各自の判断で判定したもので、それに比べると今回の臨床試験の判定は、より厳密な判定となっている。通常、臨床現場では放射線療法後に残る瘢痕は治療後の癒蓋と考え、有効性が見られたと判定されることが多い。しかし、今回の臨床試験では瘢痕が残っていれば局所完全奏効とみなさないという厳しい基準で行われている。局所完全奏効は、内視鏡判定により、食道がんの腫瘍痕が完全に消去された状態であり、予後はきわめて良好になる。

PMDA は、食道学会のデータだけでなく、学術論文等を踏まえた、より厳密な放射線単独療法の奏効率との比較も要望していたと思われる。それに対し、オンコリスバイオファーマは、国立がん研究センター中央病院での調査(欧州臨床腫瘍学会 消化器がん総会 ESMO-GI 2025)のデータとの比較で対応

しかし、比較対象となったヒストリカルデータの厳密性が問われていた

ESMO-GI で発表された国立がんセンター中央病院の調査との比較で有効性に対する証明が確立

している。国立がん研究センター中央病院での臨床研究に基づく放射線単独療法の局所完全奏効率は 22%である。OBP-301 JP101 試験の局所完全奏効率 41.7%はその 2 倍近い水準であり、信頼区間の下限(27.7%)も国立がんセンターの値(22%; 前図中の青丸)を上回っている。

食道がん放射線単独療法に関する学会報告

（国立がん研究センター中央病院の調査）

	Stage		患者総数 N=81 (2014~2023年)
	Stage II N=43	Stage III N=38	
局所完全奏効例	14例	4例	18例
%	33%	11%	22%

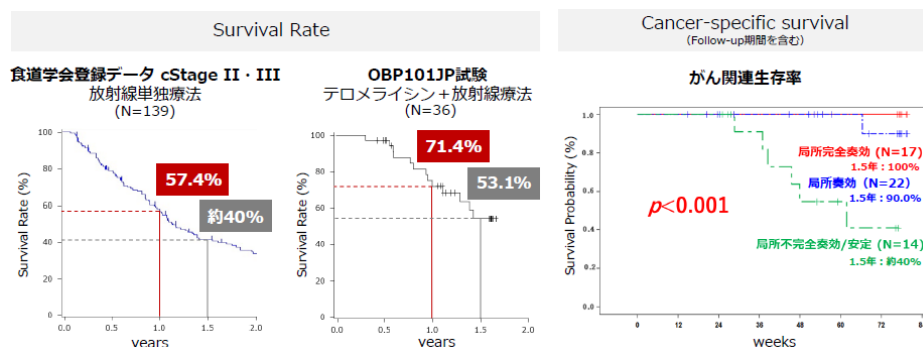
（出所）ESMO-GI 2025 での発表資料よりオンコリスバイオファーマ作成

② 予後:1 年生存率

テロメライシン併用療法の 1 年生存率は 71.4%となり、放射線単独療法(国内レジストリーデータ)での 57.4%を上回っている。

もちろん、放射線療法を選択する患者は、手術不能な高齢者の患者が多いため、がん以外での死亡例も多くなるので、がん以外での死亡例を除いたがん関連生存率もチェックする必要がある。すると、がん関連生存率は、テロメライシンにより局所完全奏効例(17 例)の 1.5 年生存率は 100%であり、局所奏効(完全奏効+部分奏効)例(22 例)の 1.5 年生存率も 90.0%となり、局所奏効が確認された症例では生存確率が高いことが証明されている。すると、当然、テロメライシン併用療法の方が放射線単独療法よりも局所奏効率が高いので、併用療法の方ががん関連生存率も高いと結論づけられる。

奏効率だけではなく、生存率も高い



（出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

③ 安全性

テロメライシンと関連性のある主な副作用は、発熱が 51.4%、リンパ球数減少またはリンパ球減少症が 48.6%認められたが、いずれも軽度ないし中等度または一過性の変化であったことが報告されている。安全性に問題はないことが確認されたものと考えられる。

安全性にも問題は無い

原薬の製造のバリデーションは完了

商用製造された原薬の品質や収率に問題なし

本試験での症例患者の平均年齢が 83 歳と高齢であったにもかかわらず、上記①～③のような効果が確認できた。

以上のことから、オンコリスバイオフーマは、「臨床」の項目で、ほぼ PMDA の理解を得られ、「臨床」の項目で『申請確認書類』を受領できていると考えている。

D.製造・製剤化に関する状況

オンコリスバイオフーマでは、「臨床」に関する PMDA とのやり取りが峠を越えた後、「非臨床」でもほぼ理解が得られるものと考えており、現在、「品質」や「GCTP」に関する問い合わせが山場を迎えているものと推察される。

① 原薬製造

オンコリスバイオフーマでは、すでに製造を委託しているヘノジェン（Henogen）社（ベルギー）に検査のための査察を 2023 年 6 月に実施、原薬の各製造段階でのチェックで問題は発生していないことを確認、いくつかの細かな改善点についても、2023 年 11 月に最終確認し、各工程に関する文書化も完了、**原薬のバリデーション作業は完了**している。2024 年 11 月には、1 回目の原薬の商用製造を完了しており、品質や収率に問題がないことを確認している。販売開始時期を見据えて、同原薬の製剤化を計画するとともに、商用に向けた新たな原薬製造も計画している。

（注） バリデーションとは

製造規模が商用生産にスケールアップされると、研究室段階と比較して、途中の工程で使用される試薬や培養液など材料も変動し、空間的不均一性も増大する。また工程自体も変更や装置の変更なども発生する。従って、各工程において、材料の変動や工程自体及び装置の変更に対して、品質にマイナスの影響を与えることなく、再現性をもって製造できることを示す必要がある。バリデーションとは、設備、工程、手順などが期待される結果、すなわち再現性をもって製造できることを科学的根拠に基づき検証し、これを文書化して、製造した医薬品の品質を実証することである。

（参考） 再生医療等細胞製品の製造で問題となるポイント

●原材料の質の変動

●工程の不安定性

引き金となる要因： 培養環境の乱れ、操作の乱れ、細胞自身の老化

増幅要因： 工程そのものの不安定性

●収率の安定性



（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025 年 2 月

製剤のバリデーション作業と異なるバッチ間での同等性は確認済	② 製剤化 製剤化のバリデーション作業も完了している。異なるバッチ間での同等性については、オンコリスバイオフーマとして、米国 LONZA 社で製造した製剤とベルギーのヘノジェン社で製造した製剤を用いて確認済みである。
新製剤と旧製剤の同等性・同質性も確認	また、バイアル中の濁りの原因であるウイルスの凝集を抑制するための新製剤（Buffer の成分変更）の開発を完了している。変更部分は既知の添加物であり、一般に広く使用されている物質である。新製剤と旧製剤の同等性・同質性については、2025 年 9 月、すべての試験項目で基準値の範囲であることが公表された。また、製剤の安定性に関して、新製剤で 6 か月安定性は確認済みであったが、2025 年 8 月、12 か月安定性も確認した。今後は、より長期の安定性（18 か月）を確認し、市販後の流通在庫に十分対応できることを証明していく方針である。
新製剤の 12 ヶ月安定性も確認済	
「臨床」・「非臨床」・「品質」の 3 つの分野で「申請確認書類」が揃った段階で申請も	このあとオンコリスバイオフーマは、順次、項目ごとに『申請確認書類』（＝「承認申請が可能である」と PMDA が判断した書類）を受領していく見込みである。オンコリスバイオフーマでは、5 分野全て揃ってからではなく、「臨床」・「非臨床」・「品質」の 3 分野で『申請確認書類』を受領し、他の 2 つの分野でも PMDA から『申請確認書類』発出に向けた合意が得られたと判断された段階で承認申請を行う予定である。
	E. サプライチェーンの整備状況
国内製造所や販売会社との契約が締結され、流通体制は整備された	サプライチェーンについては、ほぼ完成している状態である。まず、ベルギーのヘノジェン社で原薬を製造し、バイアルに充填し、それが航空輸送で、国内に輸送され、国内製造所である三井倉庫 HD の神戸の事業所にて箱詰めされる。（既に、欧州から日本へのテスト輸送が実施されている。）包装された製剤が出荷できる品質か否かオンコリスバイオフーマの神戸リサーチラボ及び京都にあるユーロフィン分析化学研究所で検査され、販売会社である富士フイルム富山化学から卸会社を通じて医療機関に送られる体制はほぼ完成している。
販売会社は富士フイルム富山化学	
ヘノジェン社が外国製造業者の認定取得	
三井倉庫 HD も製造業許可を取得し、品質協定書を締結	2024 年 11 月には、ヘノジェン社が、厚労省より「再生医療等製品外国製造業者」の認定を取得した。また、2024 年 12 月には、三井倉庫 HD の神戸市内の施設が再生医療等製品の製造管理及び品質管理の基準 GCTP(Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice)に適合するための体制整備が完了し、再生医療等製品向けの製造業許可を取得したところである。さらに、2025 年 9 月には、三井倉庫 HD と製造管理及び品質管理のための具体的な必要事項を定めた品質協定書を締結した。あとは、富士フイルム富山化学と製品供給契約、品質契約を締結することが残されている。

オンコリスバイオファーマも再生医療等製品向けの製造業許可を取得

市販後の検証試験の必要性は議論の余地はあるが、30 例ほどの市販後臨床試験を計画（3 年程度）

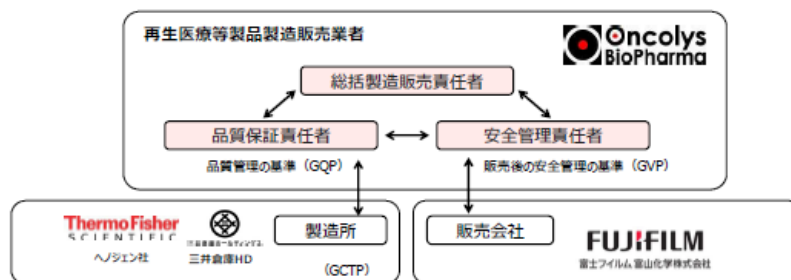
また、副作用について全例調査を行う予定

サプライチェーン



（出所）オンコリスバイオファーマ会社説明会資料 2025 年 8 月

一方、申請を提出するのに、オンコリスバイオファーマ自身も、製造販売業の認可を取得する必要がある。再生医療等製品製造販売業の許可申請に関して、2024 年 1 月までに、①総括製造販売責任者、品質保証責任者、安全管理責任者の製造販売業三役を採用、②信頼性保証本部を立ち上げ安全管理をモニターできる体制の SOP（標準作業手順書）の文書化を行い、その後、それが実際に機能するように教育訓練も実施してきた。その結果、2024 年 11 月に、東京都へ再生医療等製品製造販売業の許可申請を行い、2025 年 4 月、再生医療等製品製造販売業の業許可を取得した。



（出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 2 月

F.市販後臨床試験に関して

テロメライシン®（放射線単独療法）は、OBP101JP 試験結果が高い有効性を示していたことから、本当に検証試験が必要か議論の余地はある。ただし、2024 年に期限付き条件付き承認を得た再生医療等製品が、市販後臨床試験で有効性を示せなかった例が出現したこともあり、先駆け総合評価から承認審査の過程で、市販後臨床試験の必要性が浮上する可能性が高い。試験が必要とされる場合、OBP101JP 試験と同様の厳密な試験が行われ、有効性の再現できるか否か確認が求められる。オンコリスバイオファーマでは、試験規模は統計的な分析に必要な 30 例ほどで、試験期間は 3 年程度を想定しており、2030 年の本承認を考えている。

また、発売後には、副作用のパターンが OBP101JP 試験で生じた風邪の症状やリンパ球数低下だけでなく、テロメライシン®に特有の副作用が出現しないか

内視鏡投与による用法特許を取得し知財権を確立 「食道がんと言えばテロメライシン®」と言われるような地位を目指す このため、KOL による「食道がん局所療法研究会」を立ち上げた	確認するため、全例調査も必要となる。オンコリスバイオファーマでは、100 例程度の全例調査を実施する予定である。こちらの調査期間も 3 年程度を想定している。 1. 市販後臨床試験： 101JP試験の結果を再評価する。 ～30例ほどを想定。 2. 市販後全例調査： 市販後の安全性などの調査を行う。 ～100例ほどを想定。 （出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月 （参考）市販後後の試験デザインの重要性 2025 年 7 月、米国で迅速承認を目指していた Replimune 社の腫瘍溶解ウイルス製剤（対象：メラノーマ；ニボルマブとの併用療法）が CRL を受領し、承認されなかった。既に FDA と合意して Phase2(pivotal)である IGNYTE 試験を実施し、ASCO2025 でも良好な成績が発表されたばかりであったが、迅速承認後の Confirmatory 試験のデザインに問題があるのではという報道がなされていた。メラノーマの場合、既に有効な療法が複数存在し、それらに対する非劣勢を示す試験デザインが必要とされたのではと推測される。OBP-301 のケースでは大きく事情が異なり、同様の事態は発生しないと考えられる。 G.適応拡大の方向性 ① 知的財産権：用法特許は取得済 オンコリスバイオファーマは、2025 年 3 月、「腫瘍溶解アデノウイルスの投与方法に関する用法特許」を日本で特許査定を受け、5 月に特許権が成立している（特許存続期間は 2040 年 5 月まで）。この特許は腫瘍溶解アデノウイルス（OBP-301 だけでなく OBP-702 や競合他社のウイルスも対象）を内視鏡で投与する際に安定した治療効果を発揮するために必要な用法をカバーする特許である。対象となるがん種も食道がんだけに限定されているわけではない。この特許により、オンコリスバイオファーマは、消化器領域等で内視鏡投与による腫瘍溶解ウイルス製剤の囲い込みが可能となる。 ② テロメライシン®のブランディング化 また、オンコリスバイオファーマでは、テロメライシン®の食道がん分野でのブランディング確立を目指している。換言すると、「食道がんと言えばテロメライシン®」と言われるような地位を目指している。今般、どのように活用すれば、テロメライシン®が食道がん領域で効果的に浸透するのか検討するために、KOL(Key Opinion Leader)による「食道がん局所療法研究会」を立ち上げており、10 月に第 1 回目の会合をもつ予定である。日本食道学会理事長である浜松医科大学上部消化器管外科の竹内教授が研究会の代表を務め、内科・外科の KOL10 名ほどで構成されている。
--	--

今後の適応拡大は、まず 食道がんで CRT 併用療法 2026 年から本試験を予定	③ CRT(化学放射線)との併用療法への適応拡大 オンコリスバイオフーマでは、既に、放射線(RT)併用療法のみ(年間患者数 450 名程度)にとどまらず、食道がん全体へ使用できないか PMDA と議論を開始している。食道がんで次のターゲットは化学放射線(CRT)併用療法であり、2030 年の承認取得を目指して、2026 年以降の本試験(50 例程度)を構想中(ただし、未定)である。ちなみに、国内の食道がん患者のうちステージⅡ・Ⅲで CRT 療法の患者数は、年間 1,100—1,200 名である。前述の研究会でも CRT 併用療法に対応できるように期待している。
食道がん以外では肛門/下部直腸がんを対象とした RT 併用療法 年内にパイロット・スタディを開始し 2026 年本試験へ	④ 肛門/下部直腸がんへの適応拡大 食道がん以外での効能追加として、肛門/下部直腸がんを計画している。肛門/下部直腸がんは放置すると手術が必要となり、人工肛門を造設しなければならないケースがある。人工肛門は患者の QOL に多大な影響をもたらすため、テロメライシン®と放射線を併用することで肛門を温存することは臨床的ない意義は非常に大きいと考えられる。現在、肛門/下部直腸がんのうちステージⅡ・Ⅲで放射線治療に該当する患者数が約 2,000 名存在すると考えられる。2025 年内に 30 症例でパイロット・スタディを開始し、2026 年から 50 例で本試験を実施し、2030 年までに承認を得る構想である。
いずれも 2030 年までの承認を目指す	適応拡大の方向性に関するまとめ 1. 肛門/下部直腸がんへの適応拡大 ①パイロット・スタディ： ～30例ほどを想定。 ②本試験： ～50例ほどを想定。 ③2030年までに承認取得を目指す。 2. 食道がんでの適応拡大 ①食道がんでのブランディング化 “食道癌局所療法研究会” 代表： 浜松医大 上部消化管外科 竹内教授（食道学会理事長） ②CRT（化学放射線）併用の本試験： ～50例ほどを想定。 ③2030年までに承認取得を目指す。 適応拡大により、OBP-301の売上を最大化させる。 (出所)オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月
想定患者数は、食道がん RT 療法で 450 名前後、同 CRT 療法で 1100 名程度、 肛門/下部直腸がん RT 療法で 2000 名前後	H. 市場規模 現時点で想定できる市場は、まずは①食道がん対象の放射線(RT)併用療法であり、2030 年までに②食道がん対象の化学放射線(CRT)併用療法と③肛門/下部直腸がん対象の放射線療法である。年間患者数は、①450 名前後、②1,100 名前後、③2,000 名前後と推定される。

（参考） 想定される対象患者数

食道がん

	ステージ					
	0期	I 期	II 期	III期	IV期	不明
各ステージ症例数	2,993	10,440	2,568	3,451	5,290	407
（治療方法の割合）						(%)
手術のみ	1.3	9.0	11.9	6.1	2.0	---
内視鏡のみ	85.0	65.3	---	---	0.0	2.5
手術＋内視鏡	---	2.3	0.8	---	---	0.0
放射線のみ	0.8	2.8	9.9	5.5	8.1	10.8
薬物療法のみ	0.4	0.8	7.0	10.8	30.4	7.4
放射線＋薬物	0.8	6.9	17.5	19.8	29.4	7.6
薬物＋その他	0.0	---	0.0	---	0.2	0.0
手術/内視鏡＋放射線	---	0.6	---	---	0.2	---
手術/内視鏡＋薬物	---	2.9	39.6	48.4	12.4	3.7
手術/内視鏡＋その他	---	0.2	0.0	0.0	0.0	0.0
手術/内視鏡＋放射線＋薬物	0.0	2.9	1.4	3.4	2.5	---
他の組み合わせ	1.6	0.8	---	---	0.2	---
治療なし	9.7	5.5	11.1	5.5	14.4	66.6

444 例

1,132 例

0 例

153 例

（出所）院内がん登録全国集計 2023 年版よりフェアリサーチ作成

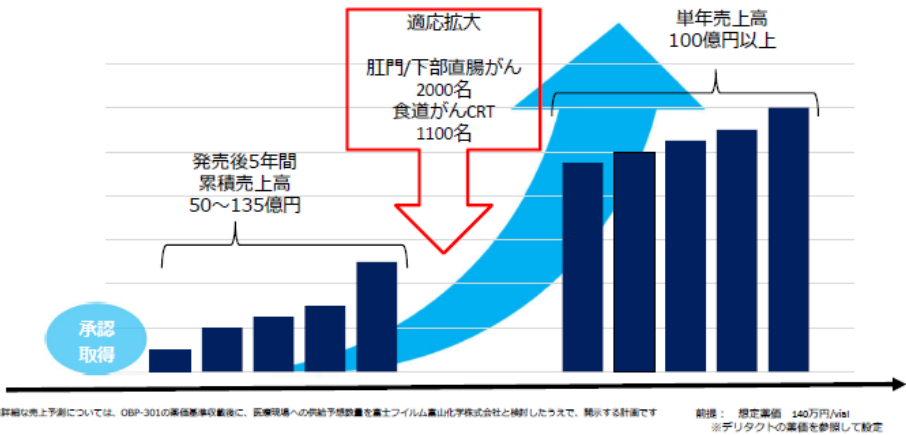
オーファン指定獲得の見込みであり、1 バイアル 140 万円と仮定する
食道がん対象の RT 併用療法だけでは年間 20 億円弱の市場だが、適応拡大により年間 100 億円以上の市場規模が期待できる

薬価はまだ決まっていないが、高薬価が期待できる orphan 指定を獲得する予定であり、先行して承認された腫瘍溶解ウイルス製剤であるデリタクト®と同様の 1 バイアル 140 万円と仮定すると、患者 1 名あたり3バイアル使用するため、ピーク時の市場規模は、次のように計算される。

- ① 食道がん対象の放射線 (RT) 併用療法18.9 億円
- ② 食道がん対象の化学放射線 (CRT) 併用療法.....46.2 億円
- ③ 肛門/下部直腸がん対象の放射線療法.....84.0 億円

以上の概算から、2030 年以降には単年度売上げが 100 億円以上に達することも見込んでいるようだ。

OBP-301 の想定市場規模



（出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

米国では、食道がんの CRT 療法と胃がん/胃食道 接合部がんの免疫チェック ポイント阻害剤との併用療 法が開発中(いずれも医師 主導治験)

前者は Phase1 で有望な結 果が出てきたが、資金の問 題などがあり、Phase2 はま だ検討中

(参考)米国での開発状況 Update

①手術不能の食道がん:放射線・化学療法併用 オープン指定

切除不能の食道がんでの一次治療では、日本では、先駆け指定を受けた放射線(RT)併用 療法の開発が先行しているが、米国における標準治療は放射線化学(CRT)併用療法であ る。2020 年 6 月、米国 FDA により食道がんを対象としたテロメライシン®と CRT 療法の開発 はオープン指定を獲得し、米国 NRG オンコロジー(非営利臨床試験機関)と医師主導治験 (Phase1)の契約を締結し、治験が始まった(組入れ症例数 15 例)。化学療法と放射線の併用 だけでは RECIST ベースの奏効率(CR 率)が 40-50%であるのに対し、テロメライシンも加え ることで従来を上回る有効性(65%以上)を目指していた。

2025 年 1 月、ASCO-GI において、その安全性と有効性が報告されている。

- 1) 規定回数の投与を完了した 14 例で安全性を評価したが、OBP-301 の投与を中止しな ければならないような有害事象(DLT)は報告されなかった。主な副作用も、軽度の風 邪関連症状(20%)、中等度の食道炎(7%)であった。
- 2) 15 例のうち 2 例で効果確認前の死亡例があったが、1 例は試験開始前から認められ ていた肺の線維化が放射線照射によって悪化した可能性が考えられ、OBP-301 治療 との関連性はないと判定されている。他の 1 例は、気管と食道が重なる部位に食道が んがあり、気管にも腫瘍が浸潤していたことから、治験によって腫瘍が縮小したため、 その箇所にも穴が開いたものである。しかし、これは OBP-301 の投与量を制限すべき 用量制限毒性(DLT)には当たらない。
- 3) 大規模な NRG/RTOG0436 研究(2008-2013 年)での化学放射線療法の有効性:cCR 率が 58%であるに対し、OBP-301 を上乗せした併用療法では、13 例と少数例で単純な 比較はできないが、cCR 率は 100%となった。

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）
clinical CR率*	100%（n=13）
主な副作用	軽度の風邪関連症状（20%）中等度の食道炎（7%）

(注) Clinical Complete Response 率(cCR 率): 内視鏡の所見や病理生検によって、食道がん 原発病変(OBP-301 治療の場合は投与箇所)の腫瘍消失が確認された割合

(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025 年 2 月

この結果を基に、2025 年内に FDA と End of Phase1 Meeting を行い、さらに大規模な臨 床試験(Phase2)で有効性を再確認するため、プロトコル等について話し合う計画であっ

後者の免疫チェックポイント阻害剤との併用療法は Phase2 段階でステージ1の完了時期は 2026 年 4 月

た。しかし、Phase2 になると症例数が各群 150-200 例程度が想定されるため、100 億円規模の資金が必要とされる。現時点では、米国では内視鏡投与に対するさまざまな意見があることも背景に、今後の方針について NRG 内で検討中である。

②米国: 胃がん/胃食道接合部がん ペムブロリズマブ併用療法

もともと胃/胃食道接合部がんを対象とするテロメライシン®とペムブロリズマブ(キイトルーダ®)併用の開発は、2019 年 1 月からコーネル大学にて医師主導治験(Ph2)で行われてきた。対象患者はステージIVの重症患者で、免疫チェックポイント阻害剤単独では奏効しにくいケースであるが、2023 年 3 月までに、評価可能 16 例のうち 3 例の長期生存例や1例の完全奏効が確認されていた。

2023 年 12 月、これまでの結果を背景に、胃がん及び胃食道接合部がんの二次治療を対象に、腫瘍溶解ウイルス薬テロメライシンと免疫チェックポイント阻害剤ペムブロリズマブの併用療法について、コーネル大学と免疫チェックポイント阻害剤を保有するメルク、オンコリスバイオファーマの 3 者による共同開発体制が構築された。費用の分担は、ペムブロリズマブはメルクが無償提供し、残りの費用は、オンコリスバイオファーマとメルクが折半している。

この医師主導治験 Phase2 の試験デザインは、一次治療で免疫チェックポイント阻害剤が奏功しなかった 2 次治療患者が対象で、テロメライシンとペムブロリズマブの 2 剤投与の Single-Arm (Open Label)となっている。なお、試験開始当初は HER2陰性患者のみを対象としていたが、現在は HER2陽性患者も対象とし、開発を加速させる計画である。主要評価項目である客観的奏効率(ORR)で、目標が 20%となっている。目標症例数は 1stステージが 13 例で、1 例も奏功しなければ早期中止、1 例でも奏効すれば、2nd ステージ 14 例にステップアップし合計 27 例となる。現時点で 2ndステージまでステップアップする可能性が高まっているようだ。なお、1stステージの完了時期は 2026 年 4 月、2ndステージの完了時期は、2028 年 4 月の予定である。

● 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

OBP-601 はもともと HIV 治療薬として開発していたが、2020 年 6 月、新規メカニズムで神経変性疾患を対象に開発を目指すトランスポゾン社へ導出	2. 期待が高まる OBP-601 の開発 OBP-601(センサブジン)は、もともとオンコリスバイオファーマが米国 Yale 大学から導入した HIV 治療薬であり、核酸系逆転写酵素阻害剤(NRTI)の一種であった。HIV 治療薬の市場は飽和し、なかなかライセンス先は見つからない状態が続いていたが、2020 年 6 月、オンコリスバイオファーマは、OBP-601 による全く新しいメカニズムで、ALS や認知症などの神経変性疾患を対象とした治療法の開発を目指す米国のトランスポゾン社とライセンス契約(全世界における再許諾権付独占的ライセンス契約)を締結した。契約総額は 3 億ドル以上で、さらに販売ロイヤリティが加わる見込みである(ロイヤリティ率は非公表)。開発・製造・販売のコストは全てトランスポゾン社が負担することになっている、なお、トランスポゾン社でのコードネームは TPN-101 になっている。
神経変性疾患の原因として、選択的スプライシングにより LINE-1 が発生し、神経炎症物質が生成されることが指摘されてきている OBP-601 は選択的スプライシングを抑制する薬剤	現在では、筋萎縮性側索硬化症(ALS)やアルツハイマー病などさまざまな神経変性疾患の原因として、脳内でゲノム(DNA)からたんぱく質が合成されるときに、選択的スプライシング(alternative splicing/cryptic splicing とする論文もある)により LINE-1 が発生し、神経炎症物質が生成されることが指摘されている。OBP-601 は、脳内に入り、この選択的スプライシングを抑制する効果をもつ薬剤である。
2024 年に、PSP と C9-ALS を対象とした Phase2a で有望な結果が報告されている	2024 年には、PSP(進行性核上性麻痺)や C9-ORF72 変異型の筋萎縮性側索硬化症(Amyotrophic Lateral Sclerosis; 以下 C9-ALS)と前頭側頭型認知症(FTD: Frontotemporal Degeneration)を対象とした試験(Phase2a)が行われ、安全性・忍容性のみならず、神経変性疾患特有のバイオマーカー(脳脊髄液中の NfL 値)の上昇の抑制や炎症性神経炎のバイオマーカー類(オステオポンチン等)の低下が観測されている。また臨床症状を測定する臨床スケールや肺活量などの値も症状の安定化を示唆する結果が得られている。
	(注)メカニズムの詳細やこれまでの臨床試験の結果については、ベーシック・レポート改訂版 2025 年 3 月発行を参照)。
	<今後の展開>
PSP は FDA の助言に基づいて Phase3 の準備中	① PSP に関して、トランスポゾン社は、中間解析後の 2024 年 5 月に FDA より Fast Track 指定を受けている。最終解析後の 2024 年 7 月に FDA と End of Phase2 Meeting を実施済で、現在 FDA の助言に基づいて Phase3 の準備を進めている。
開発資金の工面が出来たら Phase3 開始予定	ところで PSP は希少疾患ではあるが、Phase3 ともなると症例数はプラセボ対比 2 群(各群 50-100 例程度)の大規模な臨床試験が行われると考えられる。バイオマーカーの検査やその統計処理などを考え、1 例あたりのコストも

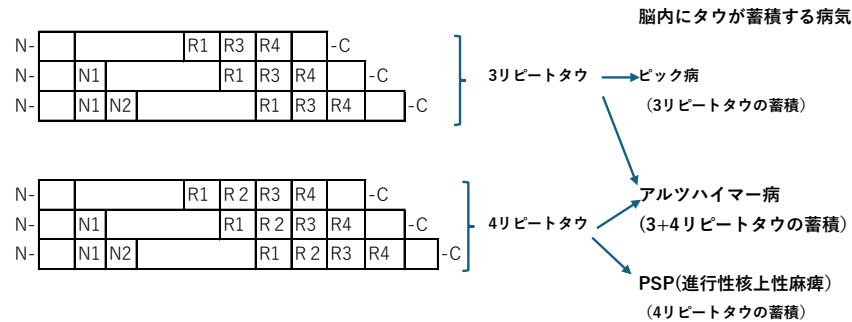
2025 年内の開始を見込む Phase2a の良好な成績が評価され、2025 年 5 月、ヒーリーALS プラットフォームに採用された ALS を対象とした開発は、このプラットフォームを活用する予定で、大規模な治験 (Phase2/3) を年内に開始する 2025 年 7 月、アルツハイマー病創薬財団は、OBP-601 がアルツハイマー病薬として有望であると判断し約 500 万ドルの投資を行う予定となった この資金を活用して Phase2 を年内に開始する予定	10 万ドル前後の水準と仮定すると、200 例で 20 百万ドルを要する。パートナーリングの浮上またはトランスポゾン社が資金を調達できたところで、2025 年内に Phase3 を開始する予定である。 ② C9-ALS に関して、トランスポゾン社は 2025 年 1 月に Phase3 ヘステップアップするための End of Phase2 Meeting を実施済みである。(なお、FTD についてはデータにばらつきが多く最終的な評価ができていない。) 2025 年 5 月、Phase2a での有望な成績が評価され、ヒーリーALS プラットフォームに採用された。ヒーリーALS プラットフォームは ALS など運動神経に異常がある病気に関する研究と臨床試験を実施する全世界 150 以上の施設で構成された国際非営利組織 Northeast ALS Consortium (NEALS) の協力によって推進されるもので、安全で効果的な治療法が見つかるまで複数の治験薬を並行して試験する、多施設共同・二重盲検・プラセボ対照のプラットフォーム試験である。このプラットフォーム試験の一つとして、C9-ALS に限定せず ALS 全般を対象とした大規模な治験 (Phase2/3) を年内に開始する予定で、開始時期を現在調整中である。 ③ 2025 年 2 月、アルツハイマー病 (AD) を対象とした OBP-601 (TPN-101) の開発 (Phase2) の開始を年内に計画していることを公表していたところ、7 月に大きな進展があった。アルツハイマー病創薬財団 (Alzheimer's Drug Discovery Foundation; ADDF) から、OBP-601 がアルツハイマー病に対し有望であると判断され、トランスポゾン社が約 500 万ドルの投資を受けることとなった。トランスポゾン社は、この資金を活用して、アルツハイマー病を対象とした Phase2 試験を 2025 年第 4 四半期に開始する計画を公表している。 OBP-601 がアルツハイマー病にも有効であると判断された背景には、同じタウオパチー病態である PSP にて有効性が確認されたこと、またアルツハイマー病でも 50% の患者に TDP-43 蛋白質異常がみられるが、同じ TDP-43 蛋白質異常がみられる ALS に対し OBP-601 の有効性が確認されていることがあると推察される。 (出所) オンコリスバイオファーマ 事業説明会資料 2025 年 3 月
--	---

（参考）アルツハイマー病とタウ及び TDP-43

アルツハイマー病では、タウの細胞内凝集体が脳内に蓄積し、蓄積量が認知機能障害の重症度を関連していると言われている。タウは主に神経細胞に存在する微小管結合タンパク質の一つで、通常は、微小管の重合や安定性の維持に関与しているが、選択的スプライシングにより LINE1 が発生し 6 種のアイソフォームが形成されることが知られている。

タウ凝集体が脳内に蓄積する神経変性疾患（タウオパチー）では、疾患によって蓄積するタウのアイソフォームに差がみられることも明らかになってきている。PSP では 4 リピートタウが、アルツハイマー病（AD）では 3 リピートタウと 4 リピートタウが混合した状態で凝集体を形成している。

選択的スプライシングが形成するタウのアイソフォームとタウ病変



（出所）「The six brain-specific TAU isoforms and their role in Alzheimer's disease and related neurodegenerative dementia syndromes」 The journal of the Alzheimer's association 2024 Feb.等から作成

TDP-43 蛋白は通常細胞核内に存在し、転写やスプライシングに関与している。しかし、ALS 患者では、核内の TDP-43 が消失し、細胞質で TDP-43 の凝集体が形成されている。すると、選択的スプライシングのコントロール機能が失われ、凝集体の生成を促進するという悪循環が生じると考えられている。さらにはその凝集体が神経炎症物質を産生し、神経細胞の細胞死に関与している可能性が指摘されている。（「Cryptic splicing of stathmin-2 and UNC13A mRNA is a pathological hallmark of TDP-43-associated Alzheimer's disease」 Acta Neuropathologica 誌 2024 Jan 及び第 117 回日本内科学会講演「筋萎縮性側索硬化症の病態における最新の進歩」令和 2 年 8 月等）

さまざまなプロジェクトが一斉にスタートする可能性あり

CNS 領域は M&A 等の対象として注目されている

トランスポゾン社では、資金調達を進めると同時に、パートナリングや事業提携等あらゆる可能性を模索している。ベストシナリオは、こうした取り組みが順調に進展し、年内に調整が完了して、さまざまなプロジェクトが一斉にスタートするシナリオである。

なお、サブライセンスや M&A 等コーポレートアクションの規模としては、神経難病領域で、過去にライセンス取引が成立した例を参考にすると、かなり大きな金額が期待できる可能性がある。CNS 領域はがん領域と並んで M&A の対象として注目されている分野である。サブライセンスや M&A 等コーポレートアクショ

トランスポゾン社でコーポレートアクションが発生した場合、オンコリスバイオフarmaにも相応の収入

ンの規模としては、神経難病領域で、過去にライセンス取引が成立した例を参考にすると、かなり大きな金額が期待できる可能性がある。

トランスポゾン社でコーポレートアクションが発生した場合、オンコリスバイオフarmaにも相応の収入がもたらされることを忘れてはいけない。



(出所)オンコリスバイオフarma 会社説明会資料 2025 年 8 月

(参考)後期段階にある神経難病領域でのライセンス取引例

発表時	ライセン ス獲得	ライセンス提供	適応症	対象薬剤	ライセンス時 の開発段階	現在	一時金	総額
2019.12	Roche	Serepta	DMD(筋ジストロフィー)	SRP-9001 (遺伝子治療薬)	Phase2	Phase2で迅速承認 2023.6	1725億円	3525億円
2020.8	Biogen	Denali	パーキンソン病	DNL151 (低分子)	Phase2	Phase3	1537億円	3225億円
2020.11	Biogen	Sage	うつ病などの精神疾患	SAGE-217(zuranolone) SAGE-324いずれも低分子 (いずれも低分子)	Phase3 Phase2	承認 2023.8 Phase2b	合計 2287億円	合計 4687億円
2025.9	Novartis	Arrowhead	パーキンソン病等のシヌク レイン病態	ARO-SNCA(siRNA療法)	Preclinical		290億円	2900億円
	買収元	買収先	適応症	主な候補品	M&A時の開発段階		買収金額	
2023.12	Abbvie	Cerevel	パーキンソン病 統合失調症 など	Tavapodon Emraclidine (いずれも低分子)	Phase3 Phase2		1兆3千億円	
2023.12	BMS	Karuna	統合失調症 など	KarXT	filing for NDA PDUFA : 2024 September 26		2兆円	
2024.10	Abbvie	Aliada	アルツハイマー型認知症	ALIA-1758	Phase1		2100億円	
2024.11	Novartis	Kate	DMD FSHD DM1 X-linked Myotubular Myopathy はAstellasへ導出 2024.6	AAV gene therapy	Preclinical		1650億円	
2025.1	J&J	Intra-cellular	統合失調症、双極性うつ病	Caplyta(lumateperone)	承認済み MDDへの用途追加は申請済み		2兆2千億円	
2025.6	Supernus	Sage	うつ病	Zuruvae	承認済み Postpartum depression で唯一の承認薬		1145億円	

(出所)オンコリスバイオフarma 事業説明会資料等にフェアリサーチ加筆

(参考) HIV 薬等を用いた神経変性疾患を対象とした他の開発例

- 例1:Lamivudine, テキサス大学 Phase2a(NCT04552795)医師主導治験(12 例)
- 例2:Emtricitabine, ブラウン大学 Phase1(NCT04500847)途上 医師主導治験
- 例3:Kamuvudine-9, Inflammasome Therapeutics 社 神経変性疾患分野はこれから
- 例4:LINE-1 RT Inhibitor, Rome Therapeutics 社 前臨床よりも前の段階

⇒ トランスポゾン社の開発が最も先行していると考えられる

また、OPB-601 は他の HIV 薬(Lamivudine(3TC)や Emtricitabine(FTC)等)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ている

(出所) オンコリスバイオフarma 事業説明会資料 2025 年 3 月 P32 参照

テロメライシン®の申請に向けた開発・準備の加速により、研究開発費が増加し赤字拡大

II 2025 年 1-6 月期決算とファイナンス

2025 年 1-6 月期の売上は 28 百万円であり、前年同期の 31 百万円から 3 百万円減少した。トランスポゾン社から前年同期と同額の収入がはっせいしたもの、円高により円ベースで減少したものである。営業損失は 12 億 67 百万円となり、前年同期の 7 億 73 百万円から 4 億 74 百万円ほど拡大している。これは、テロメライシン®の申請に向けた開発・準備が加速してきたためで、1-6 月期の研究開発費は 10 億 17 百万円と、前年同期より 4 億 94 百万円ほど拡大したためである。経常損失は、営業損失の拡大に加え、円高による為替差損のため前年同期比 5 億 59 百万円ほど拡大し、13 億 11 百万円の損失となった。結果として、当期純利益は 13 億 13 百万円の赤字となっている。

2025 年 1-6 月期損益計算書のポイント

単位：百万円（百万円未満を単価切捨て）				
	2024年 1-6月	2025年 1-6月	増減額	主な要因
売上高	31	28	△3	トランスポゾン社からの収入がドルベースで前年同期と同額が発生したが、円高により減収になった。
営業利益	△793	△1,267	△474	研究開発費：494百万円増加。 研究開発費 523百万円（2024年1-6月）⇒ 1,017百万円（2025年1-6月）
経常利益	△752	△1,311	△559	営業損失の拡大に加えて、円高により為替差損が増加した。 \$=¥158.18（2024年12月末）⇒ ¥144.81（2025年6月末）
当期純利益	△754	△1,313	△559	上記の要因により、当期純損失は前年度比で559百万円増加した。

（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

一方、2024 年 12 月期の研究開発費は 10 億 88 百万円と、前年比 2 億 62 百万円減少しているが、主因は費用認識のタイミングのずれによるものである。ヘノジェン社に対する OBP-301 の製造費用の一部が費用として認識されるのが 2025 年となり、前払い金として計上されている。この研究開発費の減少を反映して、2024 年 12 月期の営業損失は、16 億 81 百万円と、前年比 2 億 48 百万円ほど縮小した。さらに、円安により外貨建て資産に関する為替差益が生じたため、経常損失は、前年比 2 億 50 百万円ほど縮小し、16 億 63 百万円となった。

なお、会社側では、2025 年の売上収益予想は未定としている。OBP-601 の開発イベント達成やトランスポゾン社の M&A や IPO など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も確定していない。

現預金の減少幅は、赤字幅よりも小幅で済んだのは、研究開発費を前払い金の取り崩しで対応したこ

2025 年 6 月末の現預金残高は、13 億 87 百万円と、2024 年 12 月末対比 10 億 24 百万円の減少となった。当期純損失よりも 3 億 63 百万円ほど減少幅が小さかったのは、テロメライシン®の製法開発進捗により、拡大した研究開発費の一部が、ヘノジェン社に対する前払い金の取り崩し（3 億 26 百万円）で対応し

とによる

たことが主因である。また、2022 年に続き、2025 年 5 月に約 50 億円減資を実行しており、外形標準課税の支払いを約 1 億円減少できる見込みである。

バランスシートのポイント

単位：百万円（百万円未満を単位切捨て）

資産の部	2024年12月末	2025年6月末	増減額	負債の部	2024年12月末	2025年6月末	増減額
現金及び預金	2,411	1,387	△1,024	借入金合計	294	341	47
前払金	480	154	△326	未払金	52	80	28
未収入金	102	189	87	負債合計	446	493	47
流動資産合計	3,098	1,869	△1,229	資本金	5,108	2,744	△2,364
				資本準備金	2,694	-	△2,694
				利益剰余金	△5,057	△1,313	3,744
固定資産合計	100	62	△38	純資産合計	2,752	1,438	△1,314
資産合計	3,198	1,932	△1,266	負債純資産合計	3,198	1,932	△1,266

（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

6 月末の現預金は 13 億 87 百万円

販売開始後も視野入れると、①安定供給体制の完備②適応拡大のための開発③市販後臨床試験と全例調査が浮上し、その費用を確保するため、第 21 回新株予約権を発行（調達予定額は約 27 億円）

前述のように、6 月末の現預金は 13 億 87 百万円であり、年内の承認申請から 2026 年半ばの承認取得までの資金はほぼ確保されていると推察される。しかし、販売開始後も視野入れると、①安定供給体制を万全にすること、すなわち国内輸送・国際輸送での温度管理体制のシステム構築、加えて在庫切れを回避するため販売後 3 年間で 10 ロットほどの製造、②テロメライン®適応拡大のための試験や「食道がん局所療法研究会」の運営、③市販後の臨床試験や全例調査を控えており、これらを遂行するのに必要な費用について確保することが必要となってきた。

そこで、オンコリスバイオフーマは、2025 年 7 月に新たな新株予約権の発行計画を公表した。調達予定額は 27 億 29 百万円（当初行使価額 623 円ベース）で、最大希薄化率は 17.3%、控訴期間は 2025 年 8 月 5 日～2026 年 8 月 4 日である。（なお、下限行使価額は 312 円に設定されている。）

第 21 回新株予約権による調達の資金使途

具体的な使途	金額（百万円）	支出予定時期
①OBP-301の販売開始後に必要な製造・販売・流通に関する支出	876	2026年1月～2027年6月
②OBP-301の初回承認以外への適応拡大に関する支出	767	2026年1月～2027年6月
③OBP-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	2026年1月～2027年6月
合計	2,729	-

（出所） 第三者割り当てによる第 21 回新株予約権の発行に関する補足資料 2025 年 7 月

「製薬会社」として、一層の企業価値向上を目指すために必要な資金調達

この調達は、「創薬ベンチャー」ではなく、「製薬会社」として、一層の企業価値向上を目指すために必要な資金調達と位置付けることができる。

これまで、先駆け総合評価相談の開始、国内オフアン申請、再生医療等製品製造販売業の許可取得、新製剤の 12 ヶ月安定性試験のクリア、内視鏡投与等に関する知的財産権の獲得等を達成

OBP-601 のピボタル試験開始とアルツハイマー病を対象とした開発の開始は 10-12 月期を予定

1 年後には、テロメライシン®が承認・上市され、オンコリスバイオフーマが「創業ベンチャー」から「製薬企業」へ進化している

また適応拡大の開発もスタート

OBP-601 の開発は複数のピボタル試験と潜在市場が大きいアルツハイマー病を対処とした Phase2 が同時に進行

Ⅲ 1 年後の姿

2025 年 2 月の時点で、2025 年の期待されるポイントは 8 つであった。このうちチェックマークのある 5 項目は達成済みである。すなわち、テロメライシン®の放射線(RT)併用療法に関し、先駆け総合評価相談の開始、再生医療等製品製造販売業の許可取得、新製剤の 12 ヶ月安定性試験のクリア、新製剤と旧製剤の同等性・同質性の確認、内視鏡投与等に関する知的財産権の獲得を達成した。さらに、9 月 30 日には国内オフアン申請を行っている。現在は、年内の承認申請に向けてラストスパートの状態にある。

OBP-601 に関して、PSP を適応症としたピボタル試験及び ALS を対象とした Phase2/3 試験の開始とそれによるマイルストーンの受領は第 4 四半期になる見込みである。また、潜在市場の大きなアルツハイマー病(AD)を対象とした臨床試験も第 4 四半期に Phase2 から開始される見込みである

2025 年に期待されること

OBP-301	①	先駆け総合評価相談を開始	✓ 2025年3月達成済
	②	国内承認申請	2025年Q4を予定
	③	国内オフアン申請	✓ 2025年9月達成済
	④	再生医療等製品製造販売業の業許可取得	✓ 2025年4月達成済
	⑤	新製剤での12ヶ月の安定性試験のクリア	✓ 2025年8月達成済
	⑥	内視鏡投与に関する知財権の獲得	✓ 2025年3月達成済
OBP-601	⑦	ピボタル試験の開始とマイルストーンの受領	T社が2025年Q4を計画中
	⑧	アルツハイマー病で新たな試験を開始	T社が2025年Q4を計画中 (T社：トランスポゾン社)

(出所)オンコリスバイオフーマ社会社説明会資料 2025 年 8 月に加筆

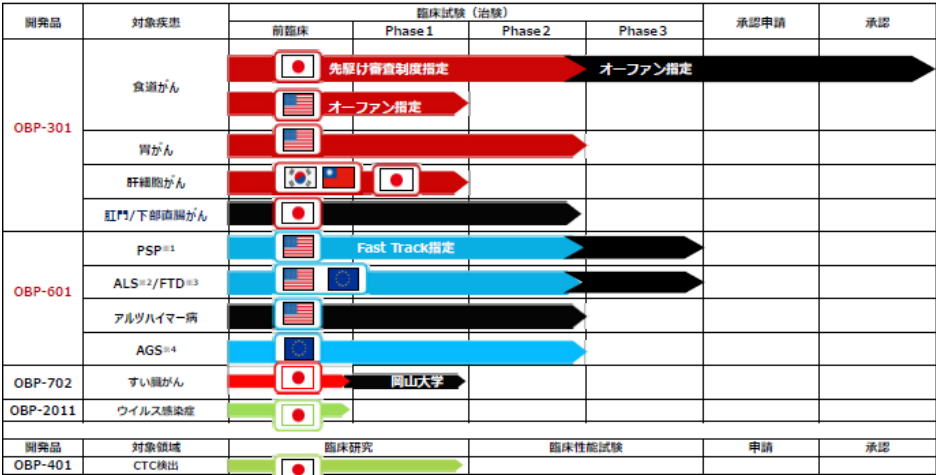
開発が順調に進展した場合、テロメライシン®は、食道がんを適応症とする放射線併用療法にて、2026 年半ばには承認され、2026 年内には上市されている。我々は、オンコリスバイオフーマが「創業ベンチャー」から「製薬企業」へステップアップしている姿を見ることがとなる。また、2026 年中には、肛門/下部直腸がんを適応症とする放射線併用療法の臨床試験 Phase2 が開始され、適応症拡大に向けた開発がスタートしていると想定される。

OBP-601 の 1 年後は、PSP 及び ALS を対象としたピボタル試験の進行中であり、アルツハイマー病(AD)を対象とした Phase2 も進展中と考えられる。2026 年中に AD を対象とした Phase2 の中間解析が浮上するか否かは未定だが、成果への期待は大きい。また、このような進捗をみせているトランスポゾン社に対

メガファーマが注目している分野での目覚まし成果は、オンコリスバイオフーマにも予想外のマイルストーン収入の可能性あり

し、CNS 領域での M&A 候補を物色している大手製薬会社の注目が集まる可能性は高い。トランスポゾン社は、今後の資金調達について、IPO や M&A、ライセンスアウト契約等多くの選択肢が存在するとみられるが、いずれにせよ、そのコーポレートアクションに伴って、オンコリスバイオフーマに予想外のマイルストーン収入が発生する可能性がある。

1 年後のパイプライン見通し



（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025 年 8 月

（注）OBP-702 は、AMED の資金が得られたこともあり、岡山大学にて 2025 年 4 月以降、医師主導治験(Phase1)が開始される予定

2026 年はオンコリスバイオフーマにとって、第 1 号の上市品が誕生し、「製薬会社」としての歩みを始める記念すべき年になる

いずれにせよ、2026 年は、オンコリスバイオフーマにとって、第 1 号の上市品が誕生し、「製薬会社」としての歩みを始める記念すべき年になるはずである。また、OBP-601 は ALS や AD 等の脳神経領域における画期的な新薬となる可能性があり、その試験の進展による果実が、オンコリスバイオフーマにももたらされることを期待したい。

フェアリサーチ株式会社

104-0033 中央区新川1-3-21 BIZ SMART 茅場町

メール: info@fair-research-inst.jp

ディスクレマー

本レポートは、株式会社ティー・アイ・ダヴリュ（以下、発行者）が、「ANALYST NET」のブランド名（登録商標）で発行するレポートであり、外部の提携会社及びアナリストを主な執筆者として作成されたものです。

- 「ANALYST NET」のブランド名で発行されるレポートにおいては、対象となる企業について従来とは違ったアプローチによる紹介や解説を目的としております。発行者は原則、レポートに記載された内容に関してレビューならびに承認を行っておりません。
- 発行者は、本レポートを発行するための企画提案およびインフラストラクチャーの提供に関して対価を直接的または間接的に対象企業より得ている場合があります。
- 執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは、本レポートを作成する以外にも対象会社より直接的または間接的に対価を得ている場合があります。また、執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは対象会社の有価証券に対して何らかの取引を行っている可能性あるいは将来行う可能性があります。
- 本レポートは、投資判断の参考となる情報提供のみを目的として作成されたものであり、有価証券取引及びその他の取引の勧誘を目的とするものではありません。有価証券およびその他の取引に関する最終決定は投資家ご自身の判断と責任で行ってください。
- 本レポートの作成に当たり、執筆者は対象企業への取材等を通じて情報提供を受けておりますが、当レポートに記載された仮説や見解は当該企業によるものではなく、執筆者による分析・評価によるものです。
- 本レポートは、執筆者が信頼できると判断した情報に基づき記載されたものですが、その正確性、完全性または適時性を保証するものではありません。本レポートに記載された見解や予測は、本レポート発行時における執筆者の判断であり、予告無しに変更されることがあります。
- 本レポートに記載された情報もしくは分析に、投資家が依拠した結果として被る可能性のある直接的、間接的、付随的もしくは特別な損害に対して、発行者ならびに執筆者が何ら責任を負うものではありません。
- 本レポートの著作権は、原則として発行者に帰属します。本レポートにおいて提供される情報に関して、発行者の承諾を得ずに、当該情報の複製、販売、表示、配布、公表、修正、頒布または営利目的での利用を行うことは法律で禁じられております。