

|| 企業調査レポート ||

オンコリスバイオファーマ

4588 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2023年3月27日(月)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<https://www.fisco.co.jp>

目次

| | |
|------------------------------|----|
| ■ 要約 | 01 |
| 1. テロメライシンの開発動向 | 01 |
| 2. その他パイプラインの動向 | 02 |
| 3. 業績動向 | 02 |
| ■ 会社概要 | 03 |
| 1. 会社沿革 | 03 |
| 2. 事業内容 | 06 |
| ■ 開発パイプラインの動向 | 07 |
| 1. テロメライシン | 07 |
| 2. センサブジン「OBP-601」 | 14 |
| 3. 新型コロナウイルス感染症治療薬「OBP-2011」 | 17 |
| 4. 次世代テロメライシン「OBP-702」 | 17 |
| 5. テロメスキャン | 18 |
| ■ 業績動向と財務状況 | 20 |
| 1. 2022年12月期の業績概要 | 20 |
| 2. 2023年12月期の業績見通し | 21 |
| 3. 中長期の成長イメージ | 21 |
| 4. 財務状況 | 22 |

■ 要約

2023年はテロメライシンの国内治験結果発表や契約交渉など重要イベントが目白押し

オンコリスバイオフーマ<4588>は、腫瘍溶解ウイルスによるがん治療薬（テロメライシン）やがん検査薬（テロメスキャン）の開発を目的に2004年に設立されたバイオベンチャーである。テロメライシンについては2019年4月に中外製薬<4519>と独占的ライセンス契約を締結したが、2021年12月に両社協議のうえ解約契約を締結し、単独で上市を目指す方針を決定した。これにより契約金や上市後のロイヤリティ収入を得るライセンス型事業モデルと、自社で製造販売承認を得て商用製剤を販売提携先の製薬会社に供給して収入を得る製薬企業型事業モデルを、パイプラインの状況等に応じて選択するハイブリッド型の事業モデルで展開していくことになった。

1. テロメライシンの開発動向

テロメライシンは、国内における食道がんを対象とした第2相臨床試験（放射線併用療法）の最終登録が2022年12月に完了し、トップラインデータを2023年後半に発表できる見通しだ。良好な結果であれば2024年内に販売承認申請を行う予定だ。また、販売開始に向けて必要となる社内の組織体制の構築準備に着手しているほか、コ・プロモーションを行うパートナー企業を決めるべく複数の企業と交渉を進めており、2023年内の契約締結を目指す。コ・プロモーション先に関しては、テロメライシンの事業価値を最大化できるような企業を選定する意向のようだ。食道がんを対象とした国内のテロメライシンの潜在市場規模としては、当初の適応対象である「手術不適な局所進行性食道がん」の患者だけで100億円程度が見込め、CRT（化学放射線療法）との併用など適応拡大すれば、250億円程度まで可能と同社では試算している。一方、米国では胃がん・胃食道接合部がん患者（ステージ4）を対象とした医師主導第2相臨床試験（免疫チェックポイント阻害剤との併用療法）において、16例中3例で長期生存が確認されるなど良好な結果であったことから、免疫チェックポイント阻害剤を販売する海外製薬企業と2023年中に契約を締結して、共同開発を進める方針である。同領域での開発に成功すれば、米国でも数百億円規模の市場規模になることが想定される。

要約

2. その他パイプラインの動向

2020年6月に米 Transposon Therapeutics, Inc. (以下、トランスポゾン) と総額3億米ドル以上の独占的ライセンス契約を締結した「OBP-601」については、欧米で神経変性疾患を対象とした前期第2相臨床試験が2本進んでおり、2023年後半にも結果が判明する見通しとなっている。良好な結果が確認できれば、トランスポゾンがメガファーマと再ライセンス契約を締結し、グローバル治験に進む可能性がある。同社も契約金の一部並びにマイルストーン収入が得られるだけに同治験結果は要注目となる。新型コロナウイルス感染症治療薬として開発を進めていた「OBP-2011」は、テロメライシンへのリソース集中等の理由から、いったん開発の優先順位を下げることを決定した。今後はアカデミアに作用機序の解明を委ねるなど資金をかけずに開発を継続する方針だ。次世代テロメライシン「OBP-702」については、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) からの助成金が得られれば、岡山大学で医師主導の臨床研究を進める予定である。また、テロメスキャンはテロメライシンに注力するため優先順位を引き下げているが、CTC自動検査プラットフォームを完成させ、医療機関に展開することを目標としている。

3. 業績動向

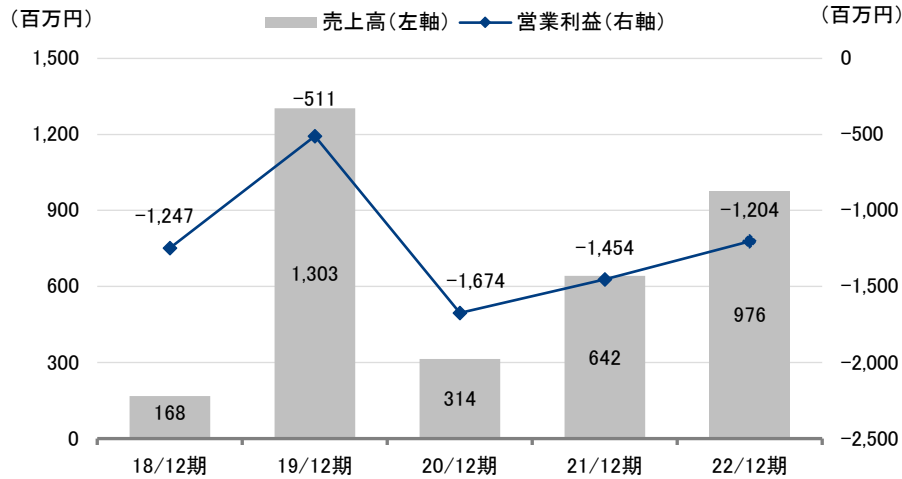
2022年12月期の売上高は前期比333百万円増加の976百万円、営業損失は1,204百万円(前期は1,454百万円の損失)となった。売上高は中外製薬からのテロメライシン開発協力金収入により増加した。費用面ではテロメライシンの製造開発等により研究開発費が947百万円と前期比で122百万円増加した。2023年12月期の業績見通しは新規契約締結に伴う契約一時金等が計上される可能性があり、現時点で合理的な数値の算出が困難なことから非開示としている。研究開発費については前期並みの水準が続く見通しだ。なお、2022年12月末の現金及び預金は17億円強となっており、2023年後半までには資金調達を行う必要があると見られる。同社は可能な限り提携先からの資金調達で賄う方針だが、不足分があれば株式市場から調達することも選択肢の1つとして考えているようだ。

Key Points

- ・テロメライシンは2023年に国内臨床試験結果を発表予定、契約交渉も含めて重要な1年に
- ・「OBP-601」は2023年内に判明する前期第2相臨床試験の結果次第で、大型契約に発展する可能性も
- ・「テロメライシン」の2025年上市が収益化に向けた転換点となる見通し

要約

業績推移



注：23/12期予想は非開示（2023年3月時点）。
出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 会社概要

ウイルス製剤を用いた抗がん剤及びがん検査薬の事業化を目的に設立

1. 会社沿革

同社は、2004年に設立されたバイオベンチャーで、「Virology（ヴィロロジー / ウィルス学）に立脚した創薬」を事業コンセプトとして、がんと重症感染症を対象に研究開発を進めている。

創業のきっかけは、現代表取締役社長の浦田泰生（うらたやすお）氏と現在の岡山大学消化器外科の藤原俊義（ふじわらとしよし）教授との出会いによるものであった。藤原教授は腫瘍溶解ウィルスの一種であるアデノウィルスを用いた抗がん剤テロメライシンの開発、及び事業化を目的とした企業設立を検討しており、そのための経営者を探していた。当時、大手企業の医薬品事業部に在籍し、同様のアイデアを持って抗がん剤の開発を考えていた浦田氏と出会い、共同で創業することとなった。このため、創業段階ではテロメライシン及びテロメライシンにクラゲが持つ発光遺伝子（以下、GFP）を組み入れたがん検査薬テロメスキャンの事業化を目的として同社が設立された。

オンコリスバイオファーマ

4588 東証グロース市場

2023年3月27日(月)

<https://www.oncolys.com/jp/ir/>

会社概要

その後、パイプラインを拡充するため2006年に米Yale大学からHIV感染症治療薬候補「OBP-601」、2009年にはアステラス製薬<4503>から新規分子標的抗がん剤「OBP-801」のライセンス導入を行い、研究・開発に着手した。「OBP-601」に関しては、2010年に米Bristol-Myers Squibb Co.（以下、BMS）にライセンスアウトしたが、BMSの事業戦略変更に伴い2014年4月にライセンス契約が解除された。しかし、2020年6月にトランスポゾンと神経変性疾患を対象とした治療薬に関して全世界の再許諾権付き独占的ライセンス契約を締結し、現在トランスポゾンにて臨床試験が進められている。そのほか、同年6月に鹿児島大学と共同で新型コロナウイルス感染症治療薬の開発に着手した。

テロメライシンに関しては、2008年に台湾のメディージェン社と戦略的提携契約を締結したほか、2019年4月には中外製薬と日本・台湾における開発・製造・販売に関する独占的ライセンス契約、及び日本・中華圏を除く全世界における開発・製造・販売に関する独占的オプション権を付与するライセンス契約を締結し、資本提携契約（同社株式を45.66万株保有（出資比率3.12%））を締結した。ただ、中外製薬の戦略変更により2021年12月にライセンス解消契約を締結し、2022年10月に同契約が解消されることになった。

一方、がん検査薬となるテロメスキャンは、2012年に国内で研究目的の受託検査サービスとして開始し、海外では2015年に米ペンシルベニア大学発のバイオベンチャー、Liquid Biotech USA, Inc.（以下、リキッド）とライセンス契約を締結して事業拡大に取り組んできた。ただ、リキッドの資金繰りが悪化したことにより、2021年12月にライセンス契約を解消しており、現在はAIベンチャーの（株）CYBOと共同でテロメスキャンを用いたCTC※自動検出ソフトウェアの開発を進めている。

※ CTC（血中循環がん細胞）とは、原発腫瘍組織または転移腫瘍組織から血中へ遊離し、血流中を循環する細胞のこと。原発腫瘍部位から遊離した後、CTCは血液内を循環し、その他の臓器を侵襲して転移性腫瘍（転移巣）を形成する。

オンコリスバイオフーマ

4588 東証グロース市場

2023年3月27日(月)

<https://www.oncolys.com/jp/ir/>

会社概要

会社沿革

| 年月 | 概要 |
|----------|--|
| 2004年 3月 | 腫瘍溶解ウイルスの研究開発を目的に、「オンコリスバイオフーマ(株)」を東京都港区に設立 |
| 2006年 6月 | Yale 大学(米国)と新規 HIV 感染症治療薬の全世界における独占的ライセンス導入契約を締結し、センサブジン(OBP-601)として研究・開発に着手 |
| 2006年10月 | テロメライシン(OBP-301)の Phase 1 臨床試験を米国にて開始 |
| 2008年 3月 | Medigen Biotechnology Corp. (台湾)とテロメライシン(OBP-301)に関する戦略的提携契約を締結 |
| 2009年10月 | アステラス製薬(株)と新規分子標的抗がん剤の全世界における独占的ライセンス導入契約を締結し、OBP-801として研究・開発に着手 |
| 2010年12月 | Bristol-Myers Squibb Co. (米国)とセンサブジン(OBP-601)に関するライセンス導入契約を締結(2014年4月契約解除) |
| 2011年 4月 | (独)医薬基盤研究所(現(国研)医薬基盤・健康・栄養研究所)と新規検査薬、テロメスキャン F35(OBP-1101)の全世界における独占的ライセンス導入契約を締結し、研究・開発に着手 |
| 2013年12月 | 東京証券取引所マザーズに上場 |
| 2014年11月 | テロメライシン(OBP-301)の Phase 1/2 臨床試験を韓国及び台湾にて開始 |
| 2015年 5月 | HDAC 阻害剤 OBP-801 の Phase 1 臨床試験を米国にて開始 |
| 2015年 8月 | 第2世代テロメライシン(OBP-702 及び OBP-405)の研究・開発に着手 |
| 2015年11月 | Liquid Biotech USA, Inc. (米国)とテロメスキャン(OBP-401)のライセンス契約締結及び北米での事業展開に関する業務提携契約を締結 |
| 2016年 8月 | 国立がん研究センター東病院と進行性または転移性固形がん患者を対象としたテロメライシン(OBP-301)と他の治療法との併用による医師主導治験契約を締結 |
| 2016年 9月 | 米国にライセンス契約締結活動及び研究開発活動の加速を目的として子会社 Oncolys USA Inc. を設立 |
| 2016年11月 | 江蘇恒瑞医薬股份有限公司(ハンルイ)(中国)と、テロメライシン(OBP-301)の中国、香港、マカオにおける独占的ライセンス契約を締結(2020年6月契約解除) |
| 2017年 7月 | テロメライシン(OBP-301)の食道がんを対象とする放射線併用 Phase 1 臨床試験を日本で開始 |
| 2017年12月 | テロメライシン(OBP-301)の抗 PD-1 抗体併用の医師主導治験を日本で開始 |
| 2018年 5月 | Stabilitech Biopharma Limited と、テロメライシン(OBP-301)の保存安定製剤のための技術導入を目的としたライセンス契約を締結 |
| 2019年 1月 | コーネル大学(米国)とテロメライシン(OBP-301)の抗 PD-1 抗体併用による Phase 2 医師主導治験契約を締結 |
| 2019年 4月 | 中外製薬と、テロメライシン(OBP-301)の日本、台湾における独占的ライセンス契約、及び日本、台湾、中国、香港、マカオを除く地域での独占的オプション権を付与するライセンス契約を締結するとともに、資本提携契約を締結 |
| 2019年 4月 | テロメライシン(OBP-301)が「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定 |
| 2019年10月 | 次世代テロメライシン(OBP-702)に関して、岡山大学と OBP-702 の製造法並びに品質試験法の開発に関する業務請負契約を締結 |
| 2019年12月 | 中外製薬から第1回マイルストーンを受領 |
| 2020年 3月 | テロメライシン(OBP-301)の食道がんを対象とする放射線併用 Phase 2 臨床試験を日本で開始 |
| 2020年 4月 | 米国に研究開発子会社、OPA Therapeutics Inc. を設立 |
| 2020年 6月 | センサブジン(OBP-601)に関して、Transposon Therapeutics, Inc. (米国)と、主に神経変性疾患を対象とした治療薬の開発に関して総額3億米ドル以上の全世界における再許諾権付き独占的ライセンス契約を締結 |
| 2020年 6月 | 米国のがん研究グループ NRG オンコロジーと、食道がんまたは胃食道接合部がんを対象としたテロメライシン(OBP-301)の Phase1 医師主導治験契約を締結 |
| 2020年 6月 | 鹿児島大学と共同で新型コロナウイルス感染症治療薬の開発に着手することを発表 |
| 2020年 8月 | コーネル大学(米国)の医学部の研究グループと、頭頸部がんを対象としたテロメライシンの Phase 2 医師主導治験契約を締結 |
| 2020年11月 | センサブジン(OBP-601)に関する第1回マイルストーン達成 |
| 2020年12月 | 朝日インテック(株)と、資本業務提携契約を締結 |
| 2021年12月 | テロメライシンに関する中外製薬とのライセンス解消契約を締結(2022年10月に契約解消が完了) テロメスキャンに関する Liquid Biotech USA, Inc. とのライセンス契約を解消 |
| 2022年 3月 | (株)CYBOとテロメスキャンを用いた CTC 自動検出ソフトウェアに関する共同開発契約を締結 |
| 2022年 7月 | 医薬品卸売販売業の許可取得 |

出所：有価証券報告書等よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項(ディスクレマー)をお読みください。

Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

ライセンス型事業モデルと製薬企業型事業モデルを組み合わせたハイブリッド型事業モデルで成長を目指す

2. 事業内容

同社は創薬バイオベンチャー企業として、研究開発先行型の事業を展開し、独自性の高いウイルス遺伝子改変技術を用いたがん治療薬、重症感染症治療薬及びがん検査薬の開発と事業化を推進している。特にがん領域では、固形がんの局所療法として腫瘍溶解ウイルスの「テロメライシン」、並びに次世代テロメライシンとなる「OBP-702」の開発を進めるとともに、がんの超早期発見または予後検査による転移がんの早期発見や治療効果予測を目的とした CTC 検査薬テロメスキャンの開発を行っており、がんの早期発見から局所治療、予後検査、転移がん治療に至るまで、がん治療を網羅するパイプラインを構築し、上市に向けた開発に取り組んでいる。

創薬事業では、開発製品の初期評価である POC を取得後に大手製薬会社・バイオ企業にライセンスアウトし、契約一時金収入や開発進捗に応じて得られるマイルストーン収入、上市後のロイヤリティ収入を獲得するライセンス型事業モデルをこれまで進めてきた。しかしながら、開発が最も先行している「テロメライシン」の中外製薬とのライセンス契約が 2022 年 10 月に解消されたことを受け、国内でのテロメライシンに関しては自社で製造販売承認を得て、商用製剤を販売提携先の製薬会社に供給して収入を得る製薬企業型事業モデルで展開していくことにした。今後はパイプラインの状況や地域に応じて最適な事業モデルを選択するハイブリッド型の事業モデル展開していく。なお、医薬品の製造や前臨床試験及び臨床試験などは専門企業にアウトソーシングすることで、開発期間の短縮化と開発経費の最適化を図っている。

■ 開発パイプラインの動向

テロメライシンは2023年に国内臨床試験結果を発表予定、 契約交渉も含めて重要な1年に

1. テロメライシン

(1) 概要

テロメライシンは、5型のアデノウイルスを遺伝子改変した腫瘍溶解ウイルスの一種で、テロメラーゼ活性の高いがん細胞に対して特異的に増殖することで、がん細胞を破壊する特徴を持つ。アデノウイルス自体は自然界の空気中に存在し、風邪の症状を引き起こすウイルスのため、ヒトに投与すると発熱等の症状が出るケースもあるが、正常な細胞の中では増殖能力が極めて低いため副作用も少なく、人体への安全性には問題のないことが確認されている。また、用法としては局所療法が中心となるため、放射線治療や免疫チェックポイント阻害剤等との併用により、患者のQOL並びに治療効果の向上が期待されている。なお、テロメライシンの国際的な一般名称は、「suratadenoturev (スラタデノツレブ)」である。

(2) 中外製薬とのライセンス契約解消と今後の国内における事業方針について

同社は2019年4月に中外製薬とライセンス契約を締結以降、国内の臨床試験は中外製薬が主体となって進めてきたが、前述のとおり2021年12月にライセンス解消契約を締結し、2022年10月をもって契約が解消された。このため、同社は中外製薬で実施していた食道がんを対象とした放射線併用療法による第2相臨床試験を引き継ぎ、データベース等の移管作業を行うとともに、(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA)に対して治験依頼者変更手続きを行い、同年8月に同治験を承継したことを発表した。

また、契約解消にあたって同年10月までに製造委託先から受領したテロメライシンのGMP※製造開発費用等に関する請求額の約50%を中外製薬が負担することで合意した。なお、ライセンス契約の解消については、テロメライシンの安全性及び有効性が理由ではないことを両社で確認している。

※ GMP (Good Manufacturing Practice) : 医薬品の製造及び品質管理に関する基準のこと。GMP認定のためには、製造工場ごとに構造や設備の運用・管理、製品の品質・衛生・製造管理などの細部にわたる審査・査察を受け、基準を満たすことが必要となる。創薬においては、GMP準拠施設で製造されたGMP製剤でないとヒトを対象とする治験に適用できない。

オンコリスバイオファーマ | 2023年3月27日(月)
4588 東証グロース市場 | https://www.oncolys.com/jp/ir/

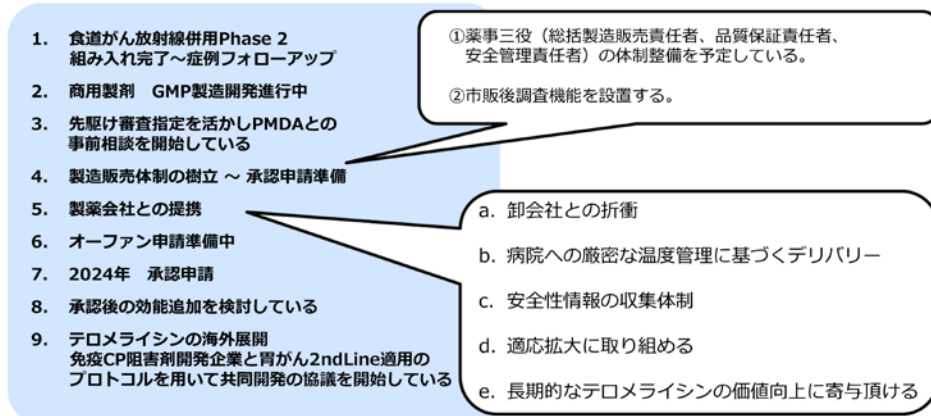
開発パイプラインの動向

同臨床試験については2022年12月に被験者登録が完了し、2023年後半にもトップラインデータが発表される見込みだ。良好な結果が得られれば、2024年内に販売承認申請を行う予定である。先駆け審査指定制度※1の対象品目に指定されているため、早期審査により2025年には承認され上市する可能性がある。また、同社は販売承認申請までに、「オーファンドラッグ※2 指定」の申請を行うとともに、自社販売ができる組織体制（製造販売、品質保証、安全管理に係る人材の採用）の構築を進めていく。販売についてはリソースがないことから、コ・プロモーションができる製薬企業と販売提携契約を締結する方針である。現在、国内及び外資系の複数の製薬企業と交渉を進めている状況で、トップラインデータ発表前でも契約に前向きな企業もあるが、同社はテロメライシンの事業価値を最大化できるようなパートナー企業を選定する意向のようだ。例えば、今後適応拡大を進めていくために必要となる臨床試験を共同で実施できる企業や、消化器領域に強い販売力を持つ企業などが想定される。なお、販売開始当初は市販後調査を行う必要があるため、現在治験を実施している医療施設（17施設）などを中心に販売を進め、徐々に対象医療施設を拡大する方針だ。

※1 先駆け審査指定制度とは、対象疾患の重篤性など一定要件を満たす画期的な新薬などについて、PMDAが薬事承認に関する相談・審査を優先的に取り扱い、承認審査期間を短縮することで早期実用化を目指すもの。通常は、承認申請から12ヶ月程度を目標に審査を行うが、同制度を活用することで審査期間を6ヶ月程度に短縮することが可能となる。テロメライシンは2019年4月に指定された。

※2 オーファンドラッグとは希少疾患用医薬品のことで、日本では対象患者数が5万人未満で医療ニーズが高いものなどが指定条件となっている。オーファンドラッグとして指定されると、10年間の独占販売期間が得られる。

2024年販売承認申請に向けて



出所：決算説明会資料より掲載

(3) 開発状況

テロメライシンは現在、国内と米国にてプロジェクトが進んでいる。このうち、国内では食道がんを対象とした放射線併用による第2相臨床試験の最終登録が2022年12月に完了し、2024年の販売承認申請を目指すことになる。一方、米国では胃がんを対象とした免疫チェックポイント阻害剤との併用療法による医師主導の第2相臨床試験の組入れが完了した。今後は、胃がんの2nd-Line治療に対する医師主導治験を新たに実施するために、製薬企業との共同開発契約を2023年中に締結する予定である。

オンコリスバイオフィーマ | 2023年3月27日(月)
4588 東証グロース市場 | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

開発パイプラインの動向

テロメライシンの開発状況

| 臨床試験 | 開発状況 | 目標 | |
|------|--------------------------------------|---|--|
| 食道がん | 放射線併用 P2 | 2022年12月最終組入れ完了 (2023年後半にトップラインデータ 発表見込み) | ・2023年内のオーファンドラッグ申 請、販売パートナーとの提携 ・2024年の販売承認申請、25年の上 市目指す |
| | PD-1※1併用 P1 (医師主導) | 組入れ完了 (22例) | データ解析結果を2023年4月の米国 癌学会で発表する |
| | 米国 CRT 併用 P1 (医師主導) <オーファンドラッグ指定> | 2021年12月に第1例目投与開始、 22年12月末時点で4例組入れ | 目標症例数：12例 |
| 胃がん | 米国 PD-1※1併用 P2 (医師主導) | 16例のうち3例で長期間の生存が 確認されたことを受け、試験を完了 | 米製薬企業と2023年中に共同開発契 約の締結を行い、2nd-Line 治療に対 する早期の臨床試験開始を目指す |

出所：決算短信及び決算説明会資料、会社ヒアリングよりフィスコ作成

a) 食道がん (放射線併用療法、日本)

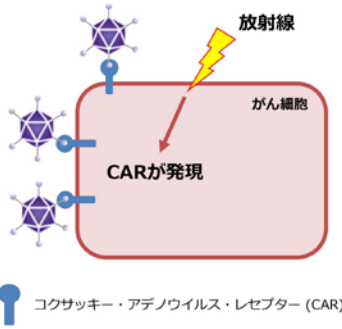
食道がんを対象とした放射線併用療法による第2相臨床試験は、外科手術による切除や根治的の化学放射線療法 (放射線と抗がん剤を用いた治療法) が不適な患者 (ステージ2または3) を対象に行われ、ヒストリカルデータ (日本食道学会による放射線単独療法) との比較により有効性と安全性を確認する試験となる。予定症例数は37例で、2022年12月にすべての組入れが完了した。主要評価項目である有効性については、内視鏡検査で撮影した腫瘍部分の画像を専門医師が観察して判断する。トップラインデータについては2023年後半にも発表できる見通しだ。また、副次評価項目として生存率のデータについても調べるため、最終的なデータは同年冬頃に得られるが、生存率が問題になることはないと思われ、トップラインデータが良好な結果であれば、2025年の上市に向けて大きく前進する。

テロメライシンと放射線の併用療法では過去の臨床試験の結果から、放射線単独療法と比較して高い治療効果が得られていることが確認されている。具体的にはステージ2または3の患者に対する局所奏効率で見ると、放射線単独療法では30%未満であったが、テロメライシンとの併用療法では55%まで上昇した。放射線ががん細胞に照射することでテロメライシンのがん細胞への感染力が向上するとともに、放射線で切断されたがん細胞の遺伝子修復をテロメライシンが阻害することが要因と考えられる。このため、第2相臨床試験においても好結果が得られるものと期待される。

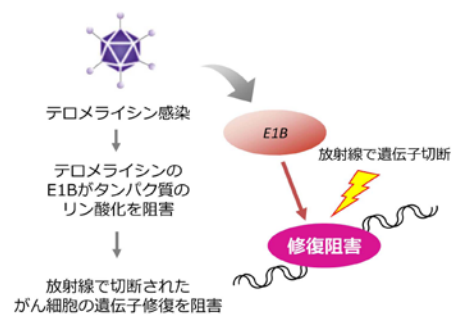
開発パイプラインの動向

テロメライシンと放射線治療との併用による相乗効果

1. 放射線の照射によりCARが発現しテロメライシンの感染が向上



2. 放射線が切断したがん細胞の遺伝子修復をテロメライシンが阻害



出所：事業計画及び成長可能性に関する事項より掲載

b) 胃がん・胃食道接合部がん（免疫チェックポイント阻害剤との併用療法、米国）

米コーネル大学等で進めていた胃がん・胃食道接合部がん患者（ステージ4）を対象とした免疫チェックポイント阻害剤※との併用療法による医師主導の第2相臨床試験は、2022年までに16例の組入れを実施し、うち3例で長期生存が確認され、有効性を示すボーダーライン（免疫チェックポイント阻害剤単剤で約15%）を超える結果を得たことにより、組入れを完了した。

※ ペムブロリズマブ（開発：米メルク<MRK>、商品名：キイトルーダ）

現在、胃がんでは免疫チェックポイント阻害剤と抗がん剤による併用療法が標準治療となっているため、標準治療で効果が得られない患者を対象とした2nd-Line治療としての承認取得を目指すべく開発を進める方針である。現在、免疫チェックポイント阻害剤を販売する海外製薬企業と共同開発に向けた協議を進めており、コーネル大学で作成した医師主導の第2相臨床試験のプロトコルについて、候補先企業が了承次第、共同開発に関する契約を締結する。また、併せてオーファンドラッグ指定の申請準備も進める予定だ。契約締結後、2024年の早い段階で医師主導第2相臨床試験が開始されるものと見られる。順調に開発が進めば、2026年に第3相臨床試験に移行し、承認取得を目指すスケジュールとなる。第2相臨床試験の開発費用については、共同開発先が一部負担する可能性がある。

c) 食道がん（化学放射線療法との併用療法、米国）

同社は2020年6月に米国の主要ながん研究グループであるNRGオンコロジーとの間で、食道がん患者を対象とした医師主導の第1相臨床試験を実施する契約を締結した。臨床試験の内容は、標準治療であるCRT療法を行いながらテロメライシンを隔週に3回投与し、安全性の確認と3ヶ月後の腫瘍の縮小効果を確認するというもの。完全奏効率が標準治療を上回れば（CRT療法単独で約50%程度）、企業治験で開発を進める可能性が出てくる。また、3年後のがん再発率が既存療法より低ければ、食道がんにおいて外科手術以外の標準治療候補となる可能性もある。

開発パイプラインの動向

予定症例数は12例だが新型コロナウイルス感染症拡大（以下、コロナ禍）の影響で進捗は遅れており、2022年12月末時点で組入れは4例にとどまっている。これまでに安全性で問題となるような副作用は報告されていない。同社では今後、治験施設を増やしながらか予定症例数の早期組入れ完了を目指していく。食道がんでは既にオーファンドラッグ指定を受けているため同指定の下で同治験が実施されており、補助金の支給や臨床試験費用の税額控除の優遇を受けることが可能となっている。

同社は今回の臨床試験の結果について、国内で今後進める予定の適応拡大（CRTとの併用療法）のための臨床試験データとして援用することを考えている。データを援用することで後期第2相/3相臨床試験から開始できることになり、開発期間の短縮につながる可能性があるためだ。ただ、適応拡大のための臨床試験は予定症例数も多くなることが想定されるため、開発資金を分担する共同開発パートナーが必要で、今後国内で販売パートナー契約を結ぶ企業の意向次第となる。いずれにしても、米国での第1相臨床試験の結果が注目される。

d) 進行性または転移性固形がん（免疫チェックポイント阻害剤との併用療法、日本）

食道がんを中心とした進行性または転移性固形がんステージ4の患者を対象に、抗PD-1抗体であるペムプロリズマブとの併用療法による医師主導の第1相臨床試験が国立がん研究センター東病院等で実施され、2021年に22例の組入れを完了した。同治験はステージ4の患者に対する治療戦略として、テロメライシンによる局所療法で腫瘍を縮小させ、患者のQOLを高めることでペムプロリズマブの治療効果をさらに高め、患者の生存期間を延伸することが可能かどうかを確認する試験であった。

前半の9例に関する中間報告については、2019年3月に開催されたAACR（米国癌学会）で発表されている。投与を制限するような重篤な副作用は発生せず、副次評価項目である有効性評価として、9例中3例で全身での部分奏効（PR）が確認されたというもので、ペムプロリズマブの単独療法による臨床試験結果（PR率13.1%）と比較して、腫瘍縮小効果が期待できる内容であった。また、後半の11例の試験結果も含めた全体総括については、2023年4月に開催されるAACRで発表される。治験担当医師からは「独自のバイオマーカーが見えてきた」という中間報告を受けており、その内容が注目される。

e) 口腔がん（熊本大学との共同研究）

2022年11月に同社は熊本大学と共同で「治療抵抗性口腔がんに対する放射線併用療法によるテロメライシンの有効性」に関する研究成果について発表した。概要は、テロメライシンと放射線併用療法により放射線耐性口腔がん細胞の放射線抵抗性を解除できることが明らかとなり、また、動物モデルにおいて放射線療法単独との比較で優れた治療効果が確認されたといった内容である。同研究によって今後、難治性口腔がんを対象としたテロメライシンと放射線併用療法による臨床開発が進むものと期待される。当面は熊本大学にて医師主導の臨床研究を継続し、エビデンスを積み上げる方針だ。

f) 頭頸部がん（免疫チェックポイント阻害剤 / 放射線との併用療法、米国）

同社は2020年8月にコーネル大学医学部らを中心とする研究グループと、頭頸部がん患者（手術不能・再発または進行性頭頸部がん）を対象とした医師主導の第2相臨床試験を実施する契約を締結した。第1例目の症例が完全奏功を達成するなど良好な結果を得られていたが、頭頸部がんの治療指針が免疫チェックポイント阻害剤を中心とした治療法に変化したため、現在試験を進めている併用療法で開発を続けていくことは困難と判断し、一旦組入れを終了した。

開発パイプラインの動向

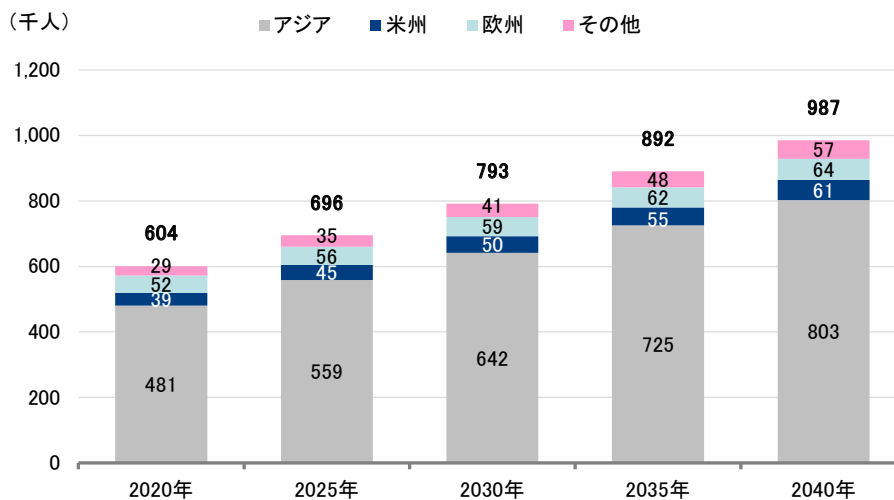
g) 肝細胞がん（免疫チェックポイント阻害剤、分子標的薬との併用療法、日本）

中外製薬において肝細胞がん患者を対象に、アテゾリズマブ及び分子標的薬ベバシズマブとの併用療法による第1相臨床試験が2021年1月より開始されたが、ライセンス契約の解消に伴い両社協議のうえ、2022年10月で同試験を終了した。ただ、肝細胞がんに関しては2014年から2020年にかけて台湾・韓国で提携先のメディジェンと共同で単剤による第1相臨床試験を実施しており、評価可能な18例において安全性が確認されている。また、18例のうち3例で部分奏効が確認されたほか、8割は投与後の腫瘍体積が変化しないといった結果が得られるなど一定の有効性も確認できていることから、新たなライセンス先が決まればライセンス先にて併用療法による開発を進めていく可能性はある。

h) 中国市場での取り組みについて

食道がんの世界患者数は2020年の約60.4万人から2040年には1.6倍の約98.7万人に増加すると予測されている。なかでもアジア市場が約8割と最も大きく、国別では中国が最大市場となる。このため、同社にとって中国市場は重要戦略市場との位置づけであり、中国企業との交渉を適宜進めている模様だ。現時点では、国内で販売承認を取得して製品価値を高めたうえで導出することを基本方針に据えており、2024年以降に契約交渉を本格的に進めるものと予想される。

食道がん患者数の見通し



出所：WHO「CANCER TOMMORW」よりフィスコ作成

(4) 製造体制

同社はテロメライシンの製造体制の充実、製造拠点の分散によるリスク軽減などを目的に、商業用製品の製造委託先として新たにベルギーのHenogen SA（以下、ヘノジェン）と2021年に提携し、米Lonza Houston, Inc.（ロンザ）との2社供給体制を構築した。ヘノジェンでの製造工程はほぼ固まり、現在GMP製造に移行している。問題がなければ2023年下期にも商用製造に近いところまで進む見通しで、2025年の販売段階では十分な供給体制が構築されているものと考えられる。なお、商業用についてはヘノジェンで量産していくことになるが、将来的に販売量が増加することになれば、新たな製造拠点を確保しサプライチェーンリスクに対応していく必要があると同社は考えている。

開発パイプラインの動向

(5) 成長戦略と潜在市場規模

テロメライシンの今後の成長戦略については、食道がんを適応症とする放射線併用療法での販売からスタートし、その後適応拡大と海外市場の開拓を進めていくことで収益最大化を図る戦略である。

まずは、国内における第2相臨床試験を予定通り完了し、2024年に販売承認申請を行うことを最優先課題に取り組んでいく。販売承認された場合は、「手術不適応な局所進行性食道がん」が対象となり、「放射線療法の併用」が適用条件になると考えられる。その後はCRT療法や免疫チェックポイント阻害剤との併用療法に適応拡大を進めながら市場を開拓していくことになるが、開発リスク（開発費用）も考慮に入れてリターンが最大化するような戦略をパートナー企業と協議しながら進める方針である。

国内における潜在市場規模については最大で250億円規模になると同社では推計している。国内の食道がん患者数は年間で約2.5万人となり、このうち「手術不適応な局所進行性食道がん」の患者数の比率は約10%と見られている。テロメライシンの対象は約2,500人となり、これに想定薬価と導入率を掛け合わせたものが市場規模となる。薬価についてはウイルス製剤として日本国内で初めて販売承認された第一三共<4568>の「デリタクト」（悪性神経腫瘍治療薬）の薬価143万円を前提とする。テロメライシンは少なくとも1クール3回投与するため、429万円（143万円×3回）となるが、4回目を投与する患者もいることから1症例当たり500万円とし、これに導入率80%（2,000人）を掛けると100億円がピーク売上となる計算だ。ただ、「デリタクト」の薬価は原価計算方式*で算出されており、テロメライシンも原価計算方式で算出されることになれば薬価はもう少し高い水準で決まる可能性がある。その場合にはピーク時売上も100億円を超えてくるものと予想される。また、CRT療法との併用療法に適応拡大が進めば対象患者数がさらに広がることになり、CRT併用療法による導入率40%を前提に年間250億円程度の売上が期待できることになる。

* 薬価の算出方式は、類似薬効比較方式と原価計算方式の2通りがあり、類似薬のない新薬については原価計算方式が用いられる。算出方式は、製造原価や販管費、流通経費を積み上げ、そこに製薬企業の利益を乗せた額を薬価とする。また、新規性のある薬や先駆け審査指定品目については補正加算が上乘せされることになる。販管費、流通経費、営業利益については、直近3年間の業界平均値の係数が原則として用いられる。

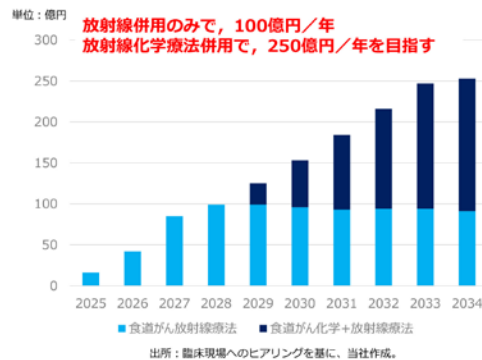
テロメライシンの市場規模

食道がん患者数：25,000人
出所：2020年院内がん登録，国立がん研究センター

| Stage I | Stage II | Stage III | Stage IV |
|--------------------|----------|-----------|----------|
| 手術 | | | |
| 放射線療法 | | | |
| 放射線化学療法(NeoAdju含む) | | | |
| 化学療法(NeoAdju含む) | | | |
| 化学療法+ICI | | | |

放射線療法，化学放射線療法，化学療法+ICIが潜在的ターゲットになり得る

出所：決算説明会資料より掲載



算定の前提条件

- ① 薬価140万円/vial
- ② 市場シェア 食道がん放射線療法：80%
食道がん化学療法+放射線療法：40%

開発パイプラインの動向

また、海外市場においては米国で免疫チェックポイント阻害剤との併用療法の開発に成功すれば、数百億円規模の需要が見込まれるが上市は最速で2030年以降となる。ただ、国内での上市に成功すれば最大マーケットである中国市場での展開が進み、将来的に国内外合わせて1,000億円を超える市場規模に育つ可能性が出てくる。このため、2023年後半に発表を予定している国内臨床試験のトップラインデータの内容が最大の焦点となりそうだ。

「OBP-601」は2023年内に判明する前期第2相臨床試験の結果次第で、大型契約に発展する可能性も

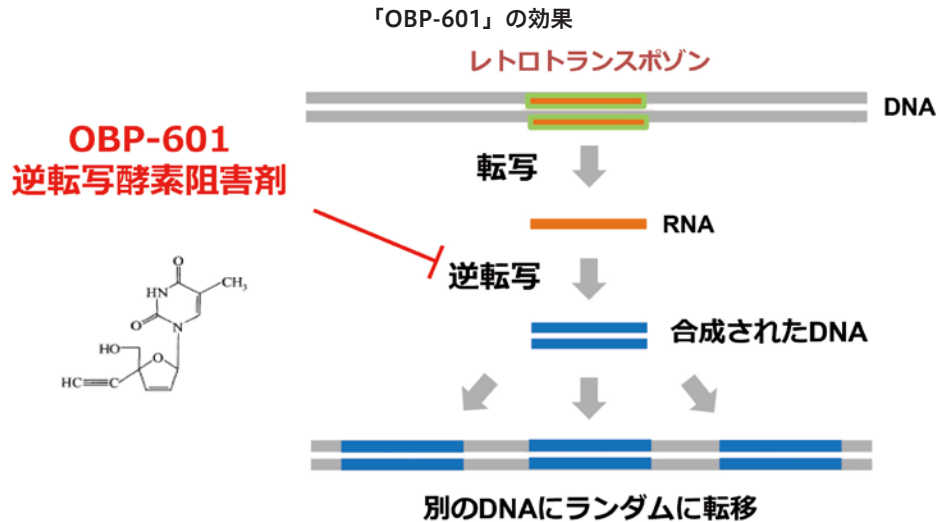
2. センサブジン「OBP-601」

核酸系逆転写酵素阻害剤「OBP-601」は2020年6月に、トランスポゾンとの間で主に神経変性疾患の治療薬開発に関して、全世界における再許諾権付き独占的ライセンス契約を締結した。ライセンス契約の総額は3億米ドル以上（販売ロイヤリティ収入除く）となり、開発・製造・販売のコストはすべてトランスポゾンが負担する契約となっている。

「OBP-601」は、米ブラウン大学が実施した動物実験の結果、神経変性疾患に有効であるとのデータが得られたことにより、トランスポゾンとの契約につながっている。具体的には、「OBP-601」がレトロトランスポゾン※の逆転写と複製を抑制する効果があることと、脳内への高い移行性を示すことが確認された。レトロトランスポゾンのなかでもLINE-1（Long Interspersed Element）というゲノムが複製されると、生体内でインターフェロンなどの産生が局所で行われ、様々な神経変性を引き起こす。特に神経細胞を傷つけることにより神経変性疾患が発症し、症状が悪化すると考えられている。「OBP-601」には、逆転写や複製の抑制により、症状の進行を遅らせる効果が期待されている。「OBP-601」はHIV治療薬として開発を進めてきた経緯があるが、HIV患者がアルツハイマー病等の神経変性疾患の発症リスクが低い（＝神経変性疾患に有効）という疫学調査があることから、トランスポゾンでは最終的に患者数の多いアルツハイマー病治療薬としての開発も視野に入れていられる。

※ ヒトのゲノムの約半分は「動く遺伝子」と呼ばれるトランスポゾンで構成されている。その大部分が「逆転写酵素」によってゲノムのほかの箇所へと転移するレトロトランスポゾンであり、ヒトゲノムの約8%を占めている。

開発パイプラインの動向



トランスポゾンでは、神経変性疾患のなかでも未だ治療法が確立されていない希少疾患を対象に開発をスタートしている。具体的には、「進行性核上性麻痺（以下、PSP）※¹」を対象とした前期第2相臨床試験を2021年11月より開始したほか、「筋萎縮性側索硬化症（以下、ALS）※²及び前頭側頭型認知症（以下、FTD）※³」を対象とした前期第2相臨床試験を2022年1月より欧米で開始している。予定症例数は各40例で安全性と忍容性を確認し、副次評価項目として四肢機能等の測定によるスコア評価などを行い有効性を確認する（試験期間は48週間）。プラセボを比較対象とした二重盲検試験となり、結果が良好であれば次のステップに進む。PSPの臨床試験については2022年8月17日付で42例の組入れが完了したことを発表しており、2023年後半にもトップラインデータが発表される見込みだ。一方、ALS及びFTDの臨床試験についても2023年3月7日付で被験者登録の組入れが完了した。2024年の早い段階でトップラインデータが判明する見込みだが、状況によっては2023年内に発表する可能性もあるようだ。

※¹ 進行性核上性麻痺（PSP: Progressive Supranuclear Palsy）は、脳の神経細胞が減少することにより、転びやすくなったり、しゃべりにくくなったりするなどの症状が見られる疾患。発症は40歳以降で、高齢者に多く発症する。

※² 筋萎縮性側索硬化症（ALS: Amyotrophic Lateral Sclerosis）は、脳の運動を司る神経が何らかの理由で障害を受け、徐々に機能しなくなること、四肢や呼吸に必要な筋肉が痩せて力がなくなっていく進行性の疾患。

※³ 前頭側頭型認知症（FTD: Frontotemporal Degeneration）は、主として初老期に発症し、大脳の前頭葉や側頭葉を中心とする神経細胞の変性・脱落により、人格変化や行動障害、失語症、認知機能障害、運動障害などが徐々に進行する神経変性疾患。

オンコリスバイオフーマ | 2023年3月27日(月)
4588 東証グロース市場 | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

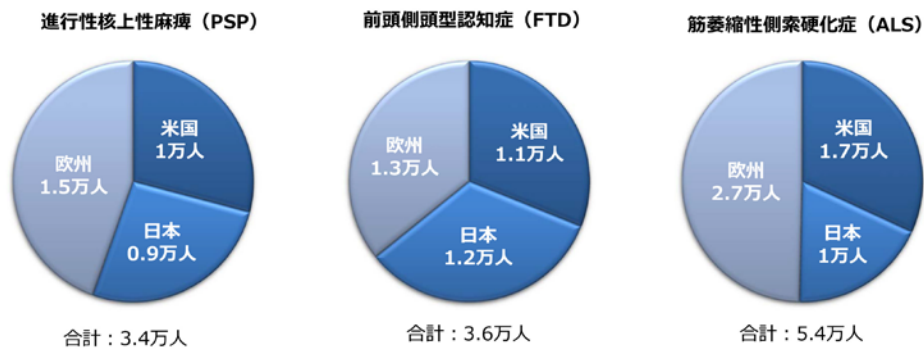
開発パイプラインの動向

患者数は PSP、FTD、ALS とともに日本では 1 万人前後、世界で約 3 万～5 万人となっており、いずれもオーファンドラッグ指定の対象となる。これら領域の開発に成功すれば次のステップとして世界の患者数が 5 千万人以上と格段に大きいアルツハイマー病がターゲットになると見られる。このため前期第 2 相臨床試験の結果が良ければ、「OBP-601」の注目度が高まり、トランスポゾンがメガファーマと再ライセンス契約を締結し、グローバル治験に進む可能性もある。そうなった場合には、同社はトランスポゾンが受け取る契約一時金の一定率をトランスポゾンから受領するほか、グローバル治験が決まった際にマイルストーン収入が得られることになる。なお、トランスポゾンでは 3 本目のパイプラインとして、遺伝性希少疾患で治療法が未だ確立されていないアイカルディ・ゴーティエ症候群 (AGS) ※を対象とした前期第 2 相臨床試験を欧州で登録を開始している (予定症例数 16 名、治験期間 48 週間)。

※ AGS は遺伝性疾患で乳児期に発症する脳症。進行性の小頭症や痙縮、ジストニア姿勢、高度の精神発達遅滞がみられ、小児期に死亡するケースもある。

「OBP-601」の市場性

未だ治療法が確立されていない神経難病を対象としている



いずれもオーファン指定を受ける予定

出所：決算説明会資料より掲載

新型コロナウイルス感染症治療薬は優先順位を下げ、資金をかけずに開発を継続する方針

3. 新型コロナウイルス感染症治療薬「OBP-2011」

同社は鹿児島大学との共同研究の中で、新型コロナウイルス感染症の原因ウイルスである SARS-CoV-2 に対して強い増殖抑制効果を有する低分子化合物を複数特定し、2020年6月に同研究成果に基づいて鹿児島大学が出願中の抗 SARS-CoV-2 薬の特許譲受に関する契約を締結し、開発に着手した。

2021年3月に複数の候補化合物の中からヌクレオカプシド※阻害剤「OBP-2011」を開発品とすることを決定し、経口剤として無症状から軽症患者を対象とした治療薬の開発を進めてきたが、動物実験（ハムスターモデル）の結果、「OBP-2011」がウイルス量を減少させる効果を持つことは確認されたものの、投与量が多量に必要であることが判明し、薬剤を効率的に体内に吸収させるための投与手段の見直し（経鼻投与等）が課題として浮上した。

※ヌクレオカプシドとは、ウイルスのゲノム（DNAあるいはRNA）とゲノムを包むタンパク質（カプシド）の総称。

また、作用機序の詳細な解明も今後、製薬会社と共同開発を進めていくうえで必要とされており、2022年3月に国立感染症研究所と共同研究契約を締結し、作用機序の解明に取り組んでいる。鹿児島大学では複数の標的タンパク質を発見しており、徐々に作用機序の解明が進む見通しだ。ただ、新型コロナウイルス治療薬としては既に先行品が発売され緊急性が薄れてきたと当社では考えており、財務状況なども考えて一旦優先順位を引き下げ、資金をかけずに開発を継続する方針を決定した。当面は鹿児島大学及び国立感染症研究所で、作用機序の解明と標的タンパク質の特定を進めていく。また、コロナウイルス以外の RNA ウイルス（インフルエンザ、エボラ出血熱等）についても効果があるかどうか研究する方針である。RNA ウイルス全般に効果があることが確認されれば、将来に未知の RNA ウイルスによってパンデミックが生じた際に、治療薬として役立つ時が来る可能性があるためだ。

次世代テロメライシンは助成金の範囲内で開発を継続する方針

4. 次世代テロメライシン「OBP-702」

同社は次世代テロメライシンとして、テロメライシンに強力ながん抑制遺伝子である p53 を組み込んだアデノウイルス製剤「OBP-702」の開発を進めている。がん患者の 30～40% で p53 遺伝子に変異・欠損（悪化因子）があり、こうした患者向けの腫瘍溶解・遺伝子治療となる。テロメライシンよりも 10～30 倍の抗腫瘍活性を示すほか、間質細胞※を破壊する能力の高いことが非臨床試験から明らかとなっている。このため、すい臓がんや骨肉腫などを対象に開発を進める予定であったが、中外製薬とのライセンス契約解消により手元資金の有効活用を図る必要性が出てきたため、優先順位を引き下げて開発を進めることにした。

※臓器の結合組織に関わる細胞で、生体組織の支持構造を構成し、実質細胞を支える細胞である。線維芽細胞、免疫細胞、周皮細胞、内皮細胞及び炎症性細胞が間質細胞の最も一般的な種類で、間質細胞と腫瘍細胞との相互作用は、がん細胞の増殖と進行に大きな影響を及ぼすことが知られている。

開発パイプラインの動向

「OBP-702」はAMEDの助成金事業に採択され、岡山大学の研究グループが中心となって研究開発を進めてきた経緯がある。臨床試験を行うために必要な治験薬のGMP製造については、委託先の中国企業で2回目の製造に成功しており、2023年3月から3回目の製造を行う予定になっている。2023年度も助成金を取得できれば、岡山大学で第1相臨床研究を開始する計画で、同社は治験薬の販売による売上を計上する予定だ。

2019年4月に米国で開催された癌学会では、すい臓がん細胞のマウスモデルを用いた実験で「OBP-702」に免疫チェックポイント阻害剤を併用することで、「OBP-702」または免疫チェックポイント阻害剤単独投与よりも強い抗腫瘍効果が得られたことを発表しており、難治がんの1つとされるすい臓がんを対象とした開発が進められていくものと期待される。

がん検査薬のテロメスキャンはAI技術を活用した自動検査プラットフォームの開発を目指すも現在は優先順位を引き下げている

5. テロメスキャン

(1) 概要

テロメスキャンは、アデノウイルスの基本構造を持ったテロメラインにクラゲのGFPを組み込んだ遺伝子改変アデノウイルスとなる。テロメラゼ陽性細胞（がん細胞等）に感染することでGFPが発現し、緑色に蛍光発光する作用を利用して、がん転移のプロセスに深く関与するCTCを高感度に検出する。検査方法としては、患者の血液を採取し、赤血球の溶血・除去後にテロメスキャンを添加しウイルスを感染させる。感染により蛍光発光したテロメラゼ陽性細胞を検出、CTCを採取する流れとなる。これまでPET検査などでは検出が難しかった直径5mm以下のがん細胞の超早期発見や、転移・再発がんの早期発見のための検査薬としての実用化を目指している。また、検出したCTCを遺伝子解析することによって個々の患者に最適な治療法を選択する「コンパニオン診断」※としての開発も将来的に期待されている。

※ 患者によって個人差がある医薬品の効果や副作用を投薬前に予測するために行われる臨床検査のこと。薬剤に対する患者個人の反応性を遺伝子解析によって判別し、最適な治療法を選択できるようにする。新薬の臨床開発段階でも用いられる。

(2) 開発状況

テロメスキャンの開発に関しては、課題であった目視によるCTC検出時間を大幅に短縮するため、2020年にAI技術開発のベンチャーであるCYBOと開発委託契約を締結して、AI技術を用いたCTC検査自動化プラットフォームの開発に取り組んできた。開発状況としては、2020年10月にT-CAS1 (TelomeScan-CTC Analysis System) を完成させ、CTCの有無判定の自動化による検体処理時間の大幅短縮※と判定結果の標準化を実現した。ただ、同システムは発光するCTC以外の異物や健常人の正常細胞もCTCとして認識してしまうなど判別の精度に課題が残っていた。

※ 目視検査で1検体当たり数時間かかっていた工程を、同システムを利用することで2～3分と大幅な短縮を実現した。

オンコリスバイオファーマ | 2023年3月27日(月)
4588 東証グロース市場 | https://www.oncolys.com/jp/ir/

開発パイプラインの動向

そこで改めて2022年3月にCYBO社と共同開発契約を締結し、AI技術を活用したCTC自動検出ソフトウェアの開発を進めていくことにした。がん患者だけでなく健常人の検体データを多く学習させることで、CTCの判別精度を高め、CTCの可能性が高いと思われる細胞等にテロメスキャンを添加し発光の有無を確認する、二重チェックのシステム構成とすることで、精度を高めていく方針である。

サービスのイメージとしては、術後の移転・再発を早期発見するための検査サービスから開始し、将来的には成人病検診の際に行うがん検査項目の1つとして、テロメスキャンによるCTC検査サービスを普及させる考えだ。ただ、同社は現在テロメライシンへのリソース集中戦略を取っている状況である。また、AIによる画像学習に必要な検体数が不足したことで開発が遅延し、CTC自動検査プラットフォームの完成時期は未定である。

パイプライン開発一覧

| 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 | ● | → | → | 2024年国内承認申請予定 | |
| | 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 | → | → | → | → | | |
| | PSP ^{※1} | → | → | → | → | Transposon社 導出済 | |
| OBP-601 | C9-ALS ^{※2} /FTD ^{※3} | → | → | → | → | | |
| OBP-2011 | 新型コロナウイルス感染症 | → | → | → | → | | |
| 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: 進行性筋性萎縮症 ※2: 筋萎縮性側索硬化症 ※3: 前頭側頭型認知症

出所: 決算説明資料より掲載

業績動向と財務状況

2022年12月期も研究開発負担により損失計上が続く

1. 2022年12月期の業績概要

2022年12月期の売上高は前期比333百万円増加の976百万円となった。中外製薬からのテロメライシンに係る開発協力金などの収入が913百万円と売上高の大半を占め増収要因となった。費用面では、テロメライシンの製法開発等により研究開発費が同122百万円増加の947百万円となったが、増収効果により営業損失は同250百万円縮小の1,204百万円となった。また、営業外で為替差益が25百万円増加したほか、譲渡制限付株式報酬償却が50百万円減少したこと等により、経常損失は同337百万円縮小の1,163百万円となり、前期に特別損失として計上した関係会社株式評価損90百万円がなくなったこと等により、当期純損失は同466百万円縮小の1,148百万円となった。

2022年12月期業績

(単位：百万円)

| | 21/12期 | 22/12期 | | |
|---------|--------|--------|--------|------------------------|
| | 通期実績 | 通期実績 | 前期比増減額 | |
| 売上高 | 642 | 976 | 333 | 中外製薬からの開発協力金収入の増加 |
| 売上原価 | 443 | 637 | 194 | 役務原価の増加 (+194百万円) |
| 販管費 | 1,653 | 1,542 | -110 | 研究開発費の増加 (+122百万円) |
| 営業利益 | -1,454 | -1,204 | 250 | |
| 経常利益 | -1,500 | -1,163 | 337 | 為替差益の増加、譲渡制限付株式報酬償却の減少 |
| 特別損益 | -110 | 17 | 127 | |
| 当期純利益 | -1,615 | -1,148 | 466 | |
| (研究開発費) | 825 | 947 | 122 | テロメライシンの製法開発費用等の増加 |

出所：決算短信よりフィスコ作成

2023年12月期は新規契約等の未確定要素があるため非開示とするが、研究開発費は前期並みの水準を見込む

2. 2023年12月期の業績見通し

2023年12月期の業績見通しについては、業績に与える未確定要素があるため非開示とした。具体的には、テロメライシンの国内での販売提携契約や米国における共同研究に係る契約が決まった場合に、契約一時金が計上される可能性があるほか、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が入る可能性もある。費用面について見ると、研究開発費はテロメライシンの臨床試験費用が減少するものの、商用向けの製法開発費の増加が見込まれ、全体では前期並みの水準となる見通しだ。また、販売承認申請に向けて薬事三役(総括製造販売責任者、品質保証責任者、安全管理責任者)の体制を構築していくほか、市販後調査が必要となるため、その機能も設置する予定にしており、関連する人材の採用を進めていく。従業員数としては前期末の38名から7名程度の増員を計画している。なお、MR人材については、販売パートナー契約を締結し、パートナー企業で販売することになるため、採用する予定はない。

テロメライシンの2025年上市が収益化に向けた転換点となる見通し

3. 中長期の成長イメージ

同社は2020年以降、コロナ禍の影響で国内外の開発プロジェクトに遅れが生じた。また、中外製薬とのライセンス契約の解消など経営面での逆風が続いたが、今後もテロメライシンの上市を最優先に取り組んでいく方針だ。また、事業形態もライセンス型事業モデルに加えて、製造販売まで行う製薬企業型事業モデルでの体制構築を進め、パイプラインの状況や開発する地域に応じた最適な事業モデルを展開することで、企業価値の向上を目指していく。米国ではアムジェンなどに代表されるようにライセンス型事業モデルのベンチャーが自社販売で成功してメガファーマに飛躍を遂げるケースも多く、自社販売を行う戦略についてマイナスのイメージはない。

テロメライシンの上市時期は早くも2025年になるため、それまでは先行投資期間が続くことになる。ただ、テロメライシンの上市に成功すれば、その後は国内外で適応拡大を進めながら製品価値を高めていくことが可能となり、収益化ステージへ移行する道筋もクリアになると思われる。前述した通り、テロメライシンは食道がんが国内外合わせて1,000億円超の潜在需要がある。もちろん、新たな治療法や治療薬の開発も進んでいるため、すべての需要を取り込むことは難しいが、テロメライシンの「手術をしなくてもがんを治すことができる」という特徴が広く認知されるようになれば、テロメライシンの売上が拡大し企業価値も大きく向上する可能性はある。さらには、腫瘍殺傷能力がさらに高い次世代テロメライシン「OBP-702」や、神経変性疾患向けの開発が進む「OBP-601」なども対象市場を考えると期待値は大きく、今後の開発の進展に期待したい。

なお、2018年に資本提携した腫瘍溶解アデノウイルスの開発ベンチャーである米Unleash Immuno Oncolytics, Inc. (アンリーシュ)で、5種類の開発候補品ができ上がったようで、同社でこれら候補品の評価・分析を今後行う予定にしている。「OBP-702」よりも性能が高いようであれば、開発パイプラインに追加していく考えだ。

今後の資金調達は提携先からの調達を最優先に検討する方針

4. 財務状況

2022年12月期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比1,641百万円減少の2,650百万円となった。主な変動要因を見ると、流動資産では研究開発に係る前払金が272百万円、未収入金が170百万円それぞれ増加した一方で、現金及び預金が1,743百万円、売掛金が352百万円それぞれ減少した。固定資産では関係会社長期貸付金が34百万円、長期前払費用が17百万円それぞれ減少し、流動資産に振り替わっている。

負債合計は前期末比206百万円減少の491百万円となった。有利子負債が111百万円、未払金が45百万円、未払法人税等が56百万円それぞれ減少した。純資産は1,434百万円減少の2,159百万円となった。当期純損失1,148百万円を計上したことに加えて、収益認識会計基準等の適用に伴い期首の利益剰余金が285百万円減算調整されたことによる。

同社は開発ステージの企業であるため自社開発品の上市が実現するまでは研究開発費が先行し、損失が続く可能性が高い。2022年12月末の現金及び預金は17億円強で当面の事業活動資金は確保されているが、当面は損失が続く見通しであることから2023年後半までには資金調達を行う必要があると見られる。同社では調達手段として、テロメライシンの共同開発パートナーあるいはコ・プロモーションを行う販売提携先からの資金調達を優先し、不足分が生じる場合には株式市場から調達することも選択肢の1つとして考えているようだ。

貸借対照表

(単位：百万円)

| | 19/12期 | 20/12期 | 21/12期 | 22/12期 | 増減額 |
|----------|--------|--------|--------|--------|--------|
| 流動資産 | 3,826 | 2,545 | 4,198 | 2,608 | -1,590 |
| （現金及び預金） | 3,342 | 2,067 | 3,454 | 1,711 | -1,743 |
| 固定資産 | 553 | 250 | 93 | 42 | -51 |
| 総資産 | 4,380 | 2,796 | 4,291 | 2,650 | -1,641 |
| 流動負債 | 523 | 415 | 430 | 321 | -108 |
| 固定負債 | 402 | 377 | 267 | 170 | -97 |
| 負債合計 | 926 | 793 | 697 | 491 | -206 |
| （有利子負債） | 516 | 516 | 494 | 383 | -111 |
| 純資産合計 | 3,454 | 2,003 | 3,593 | 2,159 | -1,434 |
| (安全性) | | | | | |
| 自己資本比率 | 78.7% | 71.4% | 83.6% | 81.2% | -2.4pt |
| 有利子負債比率 | 15.0% | 25.9% | 13.8% | 17.8% | 4.0pt |

出所：決算短信よりフィスコ作成

重要事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。

本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp