

|| 企業調査レポート ||

オンコリスバイオファーマ

4588 東証マザーズ

[企業情報はこちら >>>](#)

2020年12月3日(木)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<http://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	05
■ 開発パイプラインの動向	06
1. テロメライシン	07
2. 次世代テロメライシン「OBP-702」	12
3. COVID-19 治療薬「OBP-2001」	14
4. テロメスキャン	16
5. その他パイプライン	17
6. 特許取得状況	18
■ 業績動向と財務状況	19
1. 2020年12月期第3四半期累計業績の概要	19
2. 2020年12月期の業績見通し	20
3. 中長期の成長イメージ	21
4. 財務状況	21
■ 株主還元策	22

要約

テロメライシンは国内外で複数の治験が進み、次世代テロメライシン、COVID-19 治療薬など新規パイプラインの開発にも着手

オンコリスバイオフーマ<4588>は、腫瘍溶解ウイルスによる新規がん治療薬（テロメライシン）や新規がん検査薬（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。開発品の上市実績はまだないが、2019年4月に中外製薬<4519>とテロメライシンに関する独占的ライセンス契約及び資本提携契約を締結し、テロメライシンの2022年承認申請に向けた臨床試験が進んでいる。

1. テロメライシンの開発動向

テロメライシンは、国内で導出先の中外製薬が食道がんを対象とした放射線併用療法での第2相臨床試験を進めており、先駆け審査指定制度^{※1}を活用して2022年に販売承認申請を目指している。また、放射線化学療法による第1相臨床試験にも着手している。更に、同社が台湾・韓国で実施していた肝細胞がんを適応対象とした第1相臨床試験が終了し、今後、中外製薬が新たに抗PD-L1抗体アテゾリズマブと分子標的薬ベバシズマブを併用した第1相臨床試験も開始するようだ。本試験は、テロメライシンと抗PD-L1抗体アテゾリズマブを初めて併用する臨床試験のため、安全性評価を主目的とした第1相臨床試験となっている。なお、肝細胞がん患者に対してテロメライシン単独で投与した際の安全性は、同社による第1相臨床試験において確認されている。

一方、同社による米国での臨床試験は、新型コロナウイルス感染症の影響で当初の計画よりも全体的に遅れているものの、胃がんや食道がん、頭頸部がんなどを対象とした医師主導の第1相または第2相臨床試験が進んでいる。中外製薬とは日本・台湾における開発・製造・販売に関する再許諾権付き独占的ライセンス契約と、日本・台湾・中国・香港・マカオを除く地域での開発・製造・販売に関する独占的オプション権を付与する独占的ライセンス契約を2019年4月に締結しており、ライセンス契約の総額は500億円以上となる。また、テロメライシンの上市後は、売上高に応じたロイヤリティ収入も得られることになる。このため、現在、米国で行われている臨床試験の結果が良好であれば、中外製薬がオプション権を行使し、グループ会社である米Genentech, Inc.（以下、ジェネンテック）が開発を引き継いで進めていく可能性がある。なお、中国では導出先のハンルイ^{※2}との契約を2020年6月に解消しており、現在、中外製薬を含めた複数の大手企業と導出に向けた協議を行っている。

^{※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、（独）医薬品医療機器総合機構（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} 江蘇恒瑞医薬股份有限公司（ハンルイ）は中国の大手製薬メーカーで、がん治療薬ではトップ企業。

要約

2. その他パイプラインの動向

テロメライシンよりも腫瘍殺傷効果の高い次世代テロメライシン「OBP-702」については、骨肉腫や直腸がん、すい臓がん等を対象に放射線や免疫チェックポイント阻害剤等との併用療法で開発を進めていく方針だ。既に前臨床試験をスタートしており、2021年内に米国でIND申請を行い、2022年からの臨床試験開始を目指している。また、COVID-19（新型コロナウイルス感染症）治療薬として開発している「OBP-2001」についても2021年中に国内または米国で治験申請を行う予定だ。軽症～中等症患者に対する治療薬の開発を進めていく。そのほか、「OBP-601」については2020年6月に米 Transposon Therapeutics, Inc.（以下、トランスポゾン社）と神経変性疾患（ALS、アルツハイマー病等）向け治療薬の開発を目的として、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した。早ければ2021年後半にも第1/2相臨床試験のIND申請をトランスポゾン社が行う可能性がある。がん検査薬となるテロメスキャンについては、課題であったCTC※検出時間の大幅短縮を図るべく、AI技術によるCTC自動検出ソフトウェアを2020年内に完成させ、2021年にも導出先の米 Liquid Biotech USA, Inc.（以下、リキッド社）で自動検査システムの評価を開始する。結果が良好であれば同システムの導出活動をアジア等の地域で進めていく可能性を検討しているようだ。

※ CTC（血中循環腫瘍細胞）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。

3. 業績動向

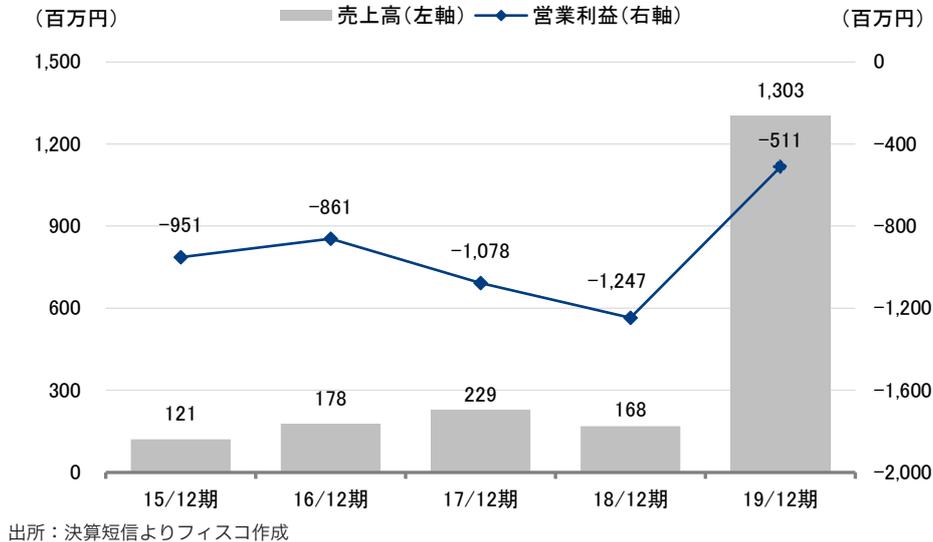
2020年12月期の業績見通しについては、適正かつ合理的な数値の算出が困難なため会社予想を開示していない。第3四半期累計では売上高で前年同期比67.5%減の207百万円、営業損失で1,167百万円（前年同期は586百万円の損失）となった。売上高に関しては、前年第2四半期に計上した中外製薬とのライセンス契約一時金収入がなくなったことが主な減収要因となっている。当面、売上高についてはライセンス契約一時金やマイルストーン収入の有無が変動要因となる。一方、費用面では引き続き複数のパイプラインの研究開発を進めていくことから、当面は損失が続くものと予想される。2020年12月期第3四半期末の現金及び預金は2,095百万円で、今後も資金調達については適時検討していく方針だ。

Key Points

- ・ テロメライシンは導出先の中外製薬が国内治験を進めるほか、米国では複数の医師主導治験が進む
- ・ がん細胞の殺傷能力を高めた次世代テロメライシン「OBP-702」は、米国で2021年内にIND申請、2022年に臨床試験開始を目指す
- ・ がん検査薬のテロメスキャンはAI画像認識技術を使ったCTC自動検出システムを2020年内に完成し、2021年から米国にて評価を行う予定

要約

業績推移



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／ウイルス学）に立脚した創薬」を事業コンセプトとして、医薬品事業及び検査事業を両輪とした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）氏と岡山大学の消化器腫瘍外科の教授であった田中紀章（たなかのりあき）医師、藤原俊義（ふじわらとしよし）医師との出会いによるものであった。当時、両医師は腫瘍溶解性ウイルスの一種であるアデノウイルスを用いた抗がん剤となる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である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ーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <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感染症治療薬候補となる「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年に米国のBristol-Myers Squibb Co. (以下、BMS) にライセンスアウトし、第2b相臨床試験まで進んだものの、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社と神経変性疾患を対象とした全世界の再許諾権付き独占ライセンス契約を締結している。そのほか、同年6月に鹿児島大学と共同でCOVID-19治療薬の開発に着手することを発表している。

テロメライシンに関しては、2008年に台湾のMedigen Biotechnology Corp. (以下、メディジェン) 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・販売に関する再許諾権付き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契約を締結するとともに、資本提携契約(同社株式を45.66万株保有(出資比率3.21%))を締結した。なお、2016年11月に中国のハンルイと中国・マカオ・香港を対象とした開発・製造・販売に関する独占ライセンス契約を締結したが、2020年6月に解消しており、現在、中外製薬を含めた複数の大手企業と導出に向けた協議を行っている。

一方、がん検査薬となるテロメスキャンに関しては、2012年に国内で研究目的の受託検査サービスを開始し、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、リキッド社とライセンス契約を締結し、北米での事業展開に関する業務提携を発表している。なお、2014年にテロメスキャンの改良型であるテロメスキャンF35について、韓国のWONIK CUBE Corp. (以下、WONIK) と韓国内における独占的ライセンス契約を締結していたが、2019年11月にWONIKの経営戦略変更(医療分野からの撤退)によって、契約を解消している。

会社沿革

年月	主な沿革
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式会社」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 I 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出契約を締結(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市場に上場
2014年11月	テロメライシン(OBP-301)のPhase I/II 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 I 臨床試験を米国にて開始
2015年 7月	鹿児島大学とB型肝炎ウイルスに関する新規感染症治療薬の創製に関する共同研究契約を締結
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 4月	岡山大学大学院医歯薬学総合科学研究科産学官連携センター・おかもめメディカルイノベーションセンターに、オンコリスバイオフーマ岡山研究センターを共同研究拠点として開設
2016年 8月	国立がん研究センター東病院と進行性又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

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

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

オンコリスバイオファーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

会社概要

年月	主な沿革
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）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	テロメライシンの食道がんを対象とする放射線併用 Phase I 臨床試験を日本で開始
2017年12月	テロメライシンの抗 PD-1 抗体併用の医師主導試験を日本で開始
2018年 5月	Stabilitech Biopharma Limited と、テロメライシン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	米コーネル大学とテロメライシンの抗 PD-1 抗体併用による Phase II 医師主導試験契約を締結
2019年 4月	中外製薬と、テロメライシンの日本、台湾における独占ライセンス契約、及び日本、台湾、中国、香港、マカオを除く地域での独占オプション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	テロメライシンの食道がんを対象とする放射線併用 Phase II 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	OBP-601 に関して、米 Transposon Therapeutics, Inc. と、主に神経変性疾患向け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の Phase1 医師主導試験契約を締結
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	米国のコーネル大学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 Phase2 医師主導試験契約を締結
2020年11月	OBP-601 に関する第1回マイルストーン達成

出所：有価証券報告書等よりフィスコ作成

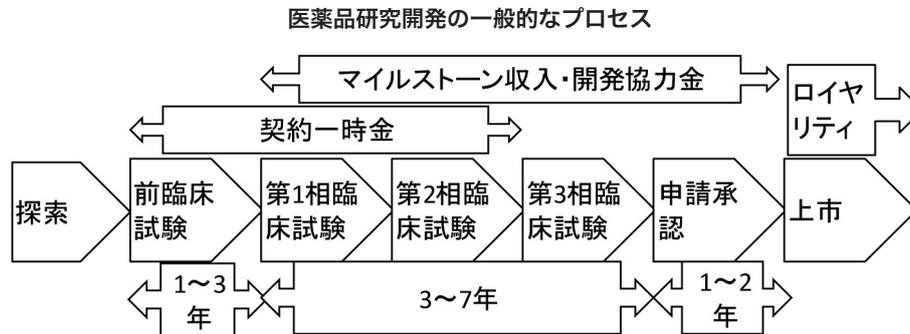
2. 事業内容

同社の事業セグメントは、医薬品事業と検査事業で構成されている。医薬品事業は、がんや重症感染症などの難病を対象に安全で有効な新薬を創出すること、また、検査事業ではウイルスの遺伝子改変技術を生かした新しいがん検査薬の事業展開を図ることを基本的な事業方針としている。なお、医薬品事業、検査事業ともにアウトソーシングを活用することで、開発期間の短縮化・開発経費の最適化を図っている。

医薬品事業は、大学等の研究機関や企業から新たな医薬品候補を導入し、同社で前臨床試験及び初期臨床試験を実施し、その製品の価値の初期評価である POC（Proof of Concept）※を取得後に大手製薬企業・バイオ企業にライセンスアウトし、契約一時金収入、開発進捗に応じた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収益モデルとなっている。医薬品候補の製造に関しては外部に委託している。

※ POC：基礎的な研究で予想された薬の効果が、実際に動物またはヒトへの投与試験により証明されること。

会社概要



出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

一方、検査事業では、同社が開発したウイルス製検査薬を用いた検査システムを検査ユニットとして検査会社・医療機関などに提供し収入を獲得するビジネスモデルを構築している。現在、開発を進めている AI 技術による CTC 自動検出システムが完成すれば、検査会社や医療機関などに同システムを安価に提供し、消耗品となる検査用ウイルスキットの販売で収益を獲得していくことを目指している。

■ 開発パイプラインの動向

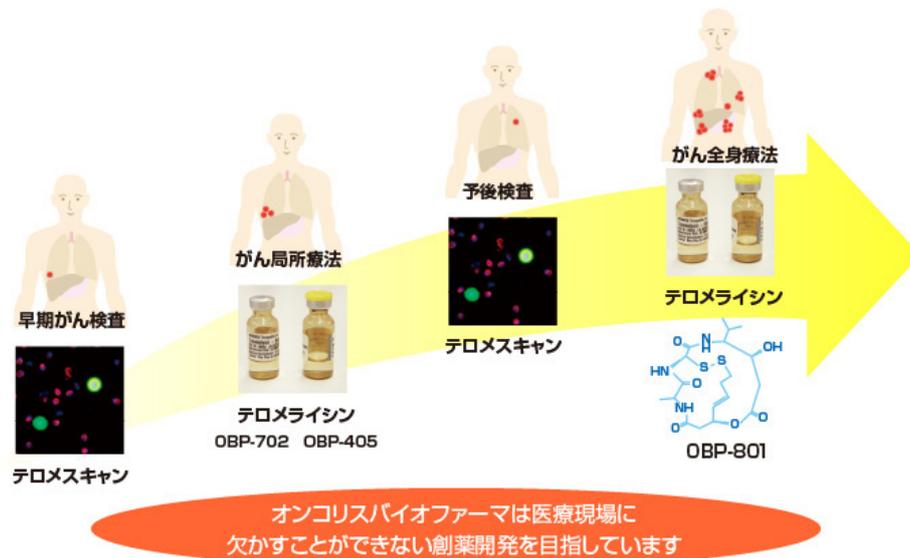
がん治療に関わるプロセスを網羅的にカバー

同社は、がんや重症感染症等の医療ニーズ充足に貢献すべく、ウイルス遺伝子改変技術を活用した新規がん治療薬、新規がん検査薬の開発を行っている。

特にがん領域では、固形がんの局所療法や全身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「OBP-702」の開発を進めるとともに、がんの超早期発見または術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（血中循環腫瘍細胞）検査薬となるテロメスキャンの開発を行っており、がんの超早期発見から治療、術後検査、転移がん治療に至るまで、がん治療に関わるプロセスを網羅的にカバーしていることが特徴と言える。

開発パイプラインの動向

がん治療におけるフランチャイズ構築の概念図



出所：ホームページより掲載

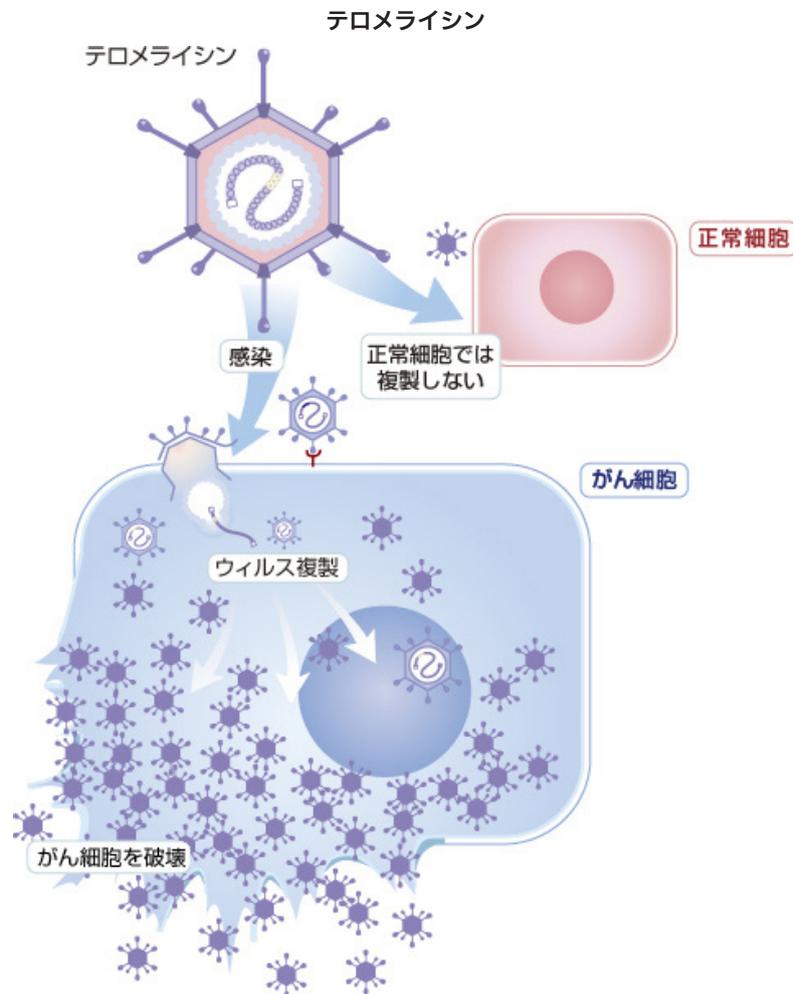
テロメライシンは導出先の中外製薬が国内治験を進めるほか、米国では複数の医師主導治験が進む

1. テロメライシン

(1) 概要

テロメライシンは、テロメラーゼ活性の高いがん細胞で特異的に増殖し、がん細胞を破壊する遺伝子改変型アデノウイルスのことで、腫瘍溶解性ウイルス製剤の一種である。テロメライシンの特徴は、正常細胞にも感染するが、テロメラーゼ活性の高いがん細胞で特異的に増殖することで、がん細胞を破壊していくことにある。アデノウイルス自体は自然界の空气中に存在し、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があるが、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がないことが確認されている。

開発パイプラインの動向



出所：ホームページより掲載

(2) 開発状況

テロメライシンは現在、国内と米国、台湾にて複数のプロジェクトが進んでおり、このうち、国内と台湾については中外製薬とのライセンス契約に基づき、開発主体が中外製薬に移っている。

オンコリスバイオフーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <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パイプライン

開発品目	適応症	開発地域	進捗状況	進捗状況と今後の目標
テロメライシン	食道がん (放射線併用) [手術不能・放射線化学療法不応答の患者]	日本	P2 進行中	先駆け審査指定制度に指定。中外製薬が2020年3月よりP2試験開始。37症例、国内多施設で予定
	食道がん (放射線化学療法併用) [アーリーステージ]	米国	P1 準備中 (医師主導治験)	オーファンドラッグ指定、2020年11月に投与開始、多施設で最大21症例を予定、2021年終了見込み、安全性と約3ヶ月後の腫瘍の変化を見る。
	食道がん (放射線化学療法併用)	日本	P1 準備中	中外製薬が2020年秋より予定症例数20例で開始予定、2022年春に終了見込み、安全性と忍容性、有効性を評価
	各種固形がん (抗 PD-1 抗体併用) [ステージ 4、進行性又は転移性固形がん]	日本	P1b 進行中 (医師主導治験)	食道原発巣へ投与完了→肝臓転移巣へ投与→食道原発巣へ投与。13例中10例に投与、2020年内の投与完了を目指す
	胃がん・胃食道接合部がん (抗 PD-1 抗体併用) [ステージ 4、進行性がん]	米国	P2 進行中 (医師主導治験)	最大37症例予定、10例で中間解析を実施予定、2021年頃に発表される見通し
	肝細胞がん (抗 PD-L1 抗体、分子標的薬併用) [ステージ 1]	日本	P1 準備中	中外製薬が、予定症例数20例で開始を予定。テロメライシンに抗 PD-L1 抗体アテゾリズマブ及び分子標的薬ヘパシズマブを併用投与した際の安全性、忍容性及び有効性を評価する。なお、肝細胞がん患者へテロメライシンを単独で投与した際の安全性は、オンコリスが実施した第1相臨床試験で確認されている
	頭頸部がん (抗 PD-1 抗体、放射線併用) [ステージ 1-3、進行性又は転移性がん]	米国	P2 準備中 (医師主導治験)	最大36症例予定。2020年内にP2試験開始見込み、12例で中間解析を行うことを検討中

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

a) 食道がん (放射線との併用療法)

2013年より岡山大学医学部で進められた医師主導の臨床研究では、ステージ1～4までの食道がんで外科手術による切除や根治的化学療法が困難な患者（高齢者等）を対象に放射線療法との併用による治療が実施された。臨床研究の結果については2018年7月の日本臨床腫瘍学会で発表されており、完全奏効率[※]で62%（全13例中8例）、うちステージ2/3の患者だけに絞ってみても57%（7例中4例）となっており、高い効果を得られることが確認された。Uicc TNM 分類第7版の基準による日本食道学会の過去データ（2009年～2011年）によれば、放射線単独療法による完全奏効率は全ステージで42%、ステージ2/3に絞ってみると27%の水準であり、テロメライシンによる薬効の高さが確認されている。

[※] 治療を受けた患者を分母として完全に腫瘍が消失した患者の割合。30%以上腫瘍が小さくなった患者の割合は部分奏効率と呼ぶ。

同社でも2017年7月から岡山大学の臨床研究と同じ内容で第1相臨床試験を行い、2019年9月にすべての患者（6名）への投与及び効果安全性評価委員会による安全性の評価を完了し、すべての症例においてテロメライシンの投与が中止となるような有害事象は発生しなかったことを発表している。また、完全奏効率は約60%と岡山大学の臨床研究と同様の結果となっている。

オンコリスバイオフィーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

開発パイプラインの動向

中外製薬が主導する第2相臨床試験については、2020年3月初旬に1例目の被験者投与が開始されている。予定症例数は37例で、国内多施設で行い、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）との比較試験により有効性と安全性を確認する。進捗状況については新型コロナウイルス感染症の影響で、やや遅れ気味となっているようだが、現段階では当初の計画どおり2022年中の販売承認申請を目標としている。先駆け審査指定制度の対象品目として指定されており、審査期間の短縮が見込まれることから、早ければ2023年に上市される可能性がある。

b) 食道がん（放射線化学療法併用）

同社は2020年6月に米国で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、アーリーステージの食道がんまたは胃食道接合部がん患者を対象とした医師主導の第1相臨床試験を米国で実施する契約を締結した。今回の臨床試験は放射線化学療法（放射線と抗がん剤を用いた治療法）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で、予定症例数は最大21症例となる。完全奏効率が標準治療を上回れば、次の開発ステージに進む可能性が高くなる（放射線化学療法単独で約50%程度）。また、3年後のがん再発率が既存療法より低ければ、アーリーステージの食道がんにおいて外科手術ではなく薬で治す患者が増える可能性もあるだけに、今後の開発動向が注目される。当初は2020年夏頃に開始する予定であったが、新型コロナウイルスの影響で施設側の体制が整わず、1例目の投与は同年11月頃となる見通しだ。臨床試験終了時期については、今後の新型コロナウイルスの感染状況次第ではあるが、順調に進めば2021年内に終了する見込みとなっている。食道がんを対象とするテロメライシンは、米国FDAよりオーファンドラッグ指定を受けており、今後、補助金支給や臨床研究費用の税額控除といった優遇措置を受けられるほか、販売承認された場合は7年間の先発権保護が与えられ、同期間中は市場を独占することが可能となる。

一方、国内でも中外製薬が局所進行性食道がんを対象とした放射線化学療法との併用による第1相臨床試験を新たに開始する見通しである。安全性、忍容性及び有効性を検証する試験となり、症例数は20例を予定、2022年春頃の終了を予定している。

c) 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）

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（開発：米メルク<MRK>、商品名：キイトルーダ）との併用療法による医師主導の第1相臨床試験が、2017年12月より国立がん研究センター東病院等で進められている。試験内容は、前半の9例が投与量を3群に分け（低容量、中容量、高容量）、治療期間6週間でテロメライシンを3回反復投与、ペムプロリズマブを複数回投与し、安全性や抗腫瘍効果、免疫応答等を評価するというもの（最大2年間の経過観察期間を設けて生存率についても評価）。また、後半の13例については、前半に行った試験のうち高容量群での3回反復投与を1クールとし、複数クール行う試験となる。

前半Phase1a臨床試験では9例に関する中間報告が、2019年3月に米国で開催された癌学会で発表されている。内容は、投与を制限するような重篤な副作用が発生せず、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が確認された。ペムプロリズマブの単独療法では部分奏効率が13.1%という臨床試験結果が出ており、テロメライシンとの併用療法による腫瘍縮小効果が期待できる内容であった。

開発パイプラインの動向

現在は後半の Phase1b 臨床試験を実施中で、2020年10月までに13例中10例までの被験者登録が進んでいる。このうち9例は原発巣の食道がんから肝臓に転移したがんに投与したが、部分奏効は確認できなかった。これは、肝臓が食道よりも体積が大きいため、プロトコルで定められた薬の投与量（1～2cc/回）では少なすぎることが原因と考えられる。このため、10例目からは再び原発巣の食道がんへの投与に戻して試験を進めていく予定で、臨床試験の終了時期は2021年の見込みだ。今後の開発方針については、中外製薬が臨床試験のデータを見て判断することになるようだ。中外製薬でも免疫チェックポイント阻害剤であるアテゾリズマブ（商品名：テセントリク）の開発を進めており、今回の医師主導臨床試験のデータ結果次第では、アテゾリズマブとの併用療法による臨床試験を進めていく可能性はある。ただ、第2相臨床試験に進んだとしても、有効性評価として2年後の生存率や再発率などを見る必要があるため、試験期間は数年程度と長期間になることが予想される。

d) 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）

ステージ4の胃がん・胃食道接合部がん患者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相臨床試験が、2019年5月より米国のコーネル大学などで進められている。ペムプロリズマブ投与中の患者に対して、テロメラインを隔週で4回投与する。症例数は最大37例で観察期間は半年程度となり、安全性と有効性を評価する。施設数はコーネル大学ほか2施設で、臨床試験に要する期間は当初3年程度を見込んでいたが、新型コロナウイルスの影響で遅延しており、被験者登録数は6例と2020年2月時点から変わっていない。ただ、被験者のスクリーニングは再開しており、今後は徐々に被験者登録も進むものと期待される。なお、コーネル大学では10例を終えた段階で中間解析及び結果を発表する予定にしている。

コーネル大学の担当医師からは、「部分奏効率で標準治療を上回る結果であれば、企業治験に切り替えていく価値がある（ペムプロリズマブ単剤では約15%）」と言われている。仮に企業治験を進める場合は、中外製薬がオプション権を行使して米国のグループ会社であるジェネンテックが主導して開発を進めていくものと予想される。なお、今回の臨床試験ではペムプロリズマブを使用しているが、中外製薬では同じ免疫チェックポイント阻害剤のアテゾリズマブがあるため、企業治験で開発を進める場合はアテゾリズマブを使用するものと思われる。

e) 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）

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（手術不能で進行性または転移性の頭頸部がん）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、2020年内に投与が開始できる見通しだ。試験内容は、免疫チェックポイント阻害剤及び放射線との併用療法による試験で、予定症例数は最大36例、安全性と有効性を評価する。コーネル大学では最初の12例で中間解析及び結果を発表する予定にしている。既存治療法（放射線＋化学療法）より良好な結果が得られれば、中外製薬がオプション権を行使して企業治験に切り替えて開発を進めていく可能性があるとみている。

f) 肝細胞がん（単剤）

ステージ3/4の肝細胞がん患者を対象とした第1相臨床試験を2014年から韓国・台湾で進め、2020年7月に試験が完了している。評価可能な18例において安全性が確認されている。今後は中外製薬が検討中の開発方針次第となるが、併用療法による臨床試験を進めていく可能性がある。

更に今後、中外製薬において肝細胞がん患者を対象に安全性、忍容性及び有効性の評価を目的としたテロメラインと抗PD-L1抗体アテゾリズマブ及び分子標的薬ペバシズマブを併用する第1相臨床試験が計画されている。

g) ハンルイとの契約解消

2020年6月に中国のライセンス供与先であったハンルイとの契約解消を発表した。ハンルイ側では臨床試験を開始する準備を進めていたものの、両社でテロメライシンの開発に関する戦略的な方針変更を行うことになり、協議の結果、契約を解消することにした。なお、テロメライシンの有効性、安全性、製造面での疑義は発生していない。このため、現在は中国・香港・マカオを対象市場とした新たなライセンス契約先を探索している状況にある。中外製薬のほか、中国の大手製薬企業などが候補となっており、早期の契約締結を目指している。

がん細胞の殺傷能力を高めた次世代テロメライシン「OBP-702」は、米国で2021年以内にIND申請、2022年に臨床試験開始を目指す

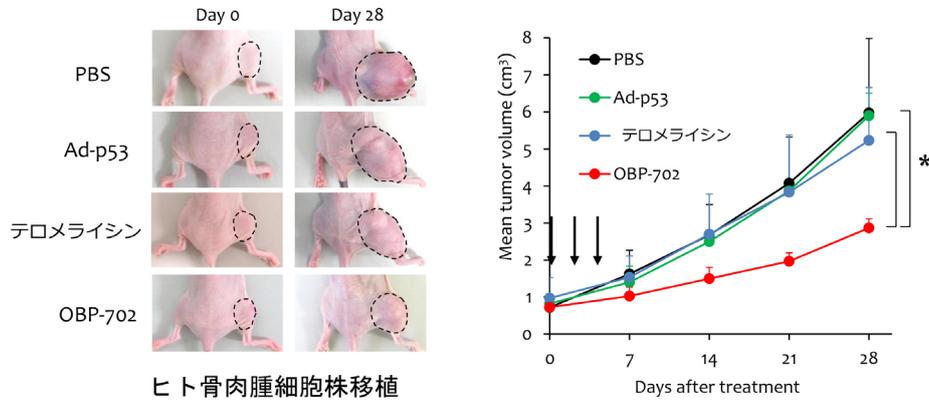
2. 次世代テロメライシン「OBP-702」

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。テロメライシンと比べて間質細胞を破壊する能力の高いことが特徴となっており、がん細胞に対して10～30倍の活性を示すことが非臨床試験から明らかとなっている。

2017年度のAMED（国立研究開発法人日本医療研究開発機構）の研究プロジェクトとして採択され、岡山大学において、ヒト型骨肉腫細胞株をマウスに移植した非臨床試験を実施、投与後28日目の腫瘍の大きさをテロメライシンやp53の単独投与と比較したところ、大きさを約半分に抑える効果のあったことが確認されている。また、2019年4月に米国で開催された癌学会において、膵管がん細胞の増殖に対して強力な抑制効果があり、膵管がん細胞の組織浸潤と転移を抑制できる可能性のあることが動物実験モデルにより示されたほか、神経芽腫細胞に対してがん関連遺伝子やテロメラーゼ活性を抑制し、非常に強い増殖抑制作用が示されたことなどが研究報告として発表されている。

開発パイプラインの動向

p53 遺伝子搭載型テロメラインシン (OBP-702)



Cell lines	Sensitivity to OBP-301	Relative hTERT mRNA expression	ID ₅₀ value ^a (MOI)	
			OBP-301	OBP-702
SaOS-2	Resistant	—	98.1	5.5
MNNG/HOS	Resistant	+	97.3	6.7
U2OS	Sensitive	+	38.2	1.2
HOS	Sensitive	+	43.0	4.5

(Hasei et al, Mol Cancer Ther, 12:314-325, 2013)

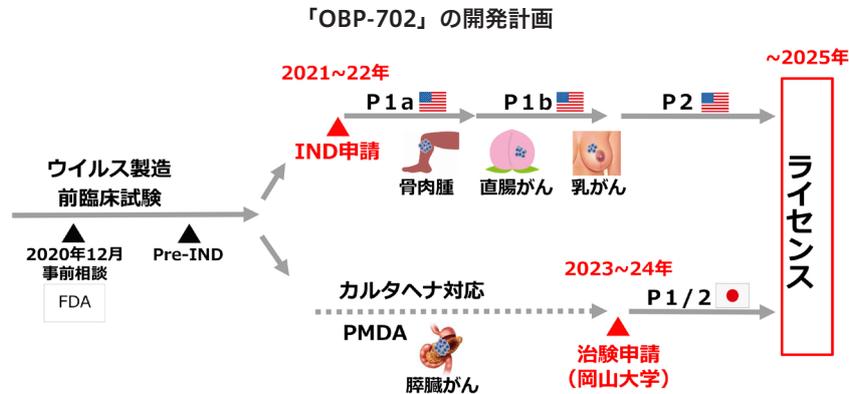
出所：決算説明会資料より掲載

「OBP-702」の開発方針としては、アンメット・メディカル・ニーズが強く、テロメラインシンで効果が得られにくいがん種、あるいは既存治療法に抵抗を示すがん（p53 遺伝子欠損・変異がん）や間質細胞の多い難治性がんなどで開発を進めていく方針となっている。具体的には、骨肉腫、直腸がん、トリプルネガティブ乳がん、膵臓がんなどを想定している。既に、GMP^{※1} 基準によるウイルス製剤の GMP 製造^{※2} とマウスを使った前臨床試験をスタートしており、2021 年内にカルタヘナ議定書に批准していない米国で IND 申請を行い、2022 年の第 1 相臨床試験開始を目標としている。また、国内については岡山大学が引き続き AMED の助成を受けて開発を進めていくことが決定しており（研究開発期間：2021 - 2023 年度）、米国で第 1 相臨床試験における OBP-702 の安全性が確認された後、2023 - 2024 年を目標に、国内での治験申請、臨床試験入りを目指している。

※1 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 製剤でないヒトを対象とする治験に適用できない。

※2 ドイツの Vivalogics に製造委託。

開発パイプラインの動向



出所：決算説明会資料より掲載

「OBP-702」がターゲットとするがん種

骨肉腫 / 軟部肉腫	<ul style="list-style-type: none"> ・若年層に好発、標準治療は手術 ・対象は局所進行性の骨軟部肉腫 ・希少疾患 ・放射線及びPD-(L) 1抗体との併用療法を検討
直腸がん	<ul style="list-style-type: none"> ・術後のQOLが低い(人工肛門) ・対象は局所再発 / 進行性直腸がん ・標準治療(化学療法放射線)への上乗せを検討 ・人工肛門設置患者数の減少
膵臓がん	<ul style="list-style-type: none"> ・早期発見が困難かつ予後が悪い ・対象は局所再発 / 進行性膵臓がん ・標準治療(化学療法)との併用 ・患者の生命予後を延長

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

COVID-19 治療薬の開発を新たに開始、2021年の治験申請を予定

3. COVID-19 治療薬「OBP-2001」

同社は鹿児島大学との共同研究の中で、COVID-19(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、培養細胞を用いた実験では承認済みのレムデシビルと同等以上の活性が示されたことを確認し、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たことを2020年6月に発表した。今後、COVID-19治療薬の開発を進めるとともに、契約一時金や開発進展に応じたマイルストーン、第三者からの収入に応じたロイヤリティなどを支払っていくことになる。

オンコリスバイオフィーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

開発パイプラインの動向

現在、複数の候補化合物の中から有力と思われる化合物を「OBP-2001」として、開発に着手しており、軽度から中等症の患者を対象に、最終的には経口剤の開発を目標としている。今後、作用機序の解明や大量製造法の検討なども行いながら、2021年中の治験申請、早期臨床試験入りを目指していく。なお、治験申請については国内または米国で行う予定だが、開発の迅速性を重視していることから、米国で開発を進めていく可能性が高いと弊社では見ている。また、「OBP-2001」を改良したバックアップ化合物の探索も同時並行で進めており、2021年3月までに経口剤としての開発が可能な活性度の高い新規化合物が新たに見つかれば、同化合物に切り替えて開発を進めていく方針となっている。

COVID-19 に対する世界の開発状況

種類	候補品 (承認年月)	開発企業	
既存治療薬の適応追加	エボラ出血熱治療薬	レムデシビル (2020年5月)	
	抗ステロイド薬	デキサメタゾン (2020年7月)	
	抗インフルエンザ薬	アビガン	富山化学
		ガリデシビル	BioCryst
		ウミフェノビル	Pharmstandard
		タミフル	Roche
	抗HIV薬	ソフルーザ	塩野義製薬
		ネルフィナビル	Roche
	その他	カレトラ	Abbvie
		カモスタット	小野薬品
ヒドロキシクロロキン		Sanofi	
イベルメクチン		MSD/マルホ	
	ナファモスタット	日医工	
	クロロキン	Bayer	

種類	開発品名	開発企業	Phase	地域	
ワクチン	Adenovirus	AZD-1222	AZ / Oxford Univ.	P3	英国
	RNA	BNT-162	Pfizer / Biontech	P3	米国
		mRNA-1273	Moderna	P3	米国
	Adenovirus-26	Ad26 CoV2-S	J&J	P1/2	米国
	Adenovirus-5	Ad5-nCoV	Cansino Bio	P2	中国
	不活	PiCoVacc	Sinovac Bio	P1/2	中国
	DNA	INO-4800	Inovio Pharma	P1	米国
	蛋白	NVX-CoV2373	Novavax	P1	米国

※出所：HPIほか公開情報を基に当社作成

出所：決算説明会資料より掲載

がん検査薬のテロメスキャンは AI画像認識技術を使ったCTC自動検出システムを2020年内に完成し、 2021年から米国にて評価を行う予定

4. 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
 改変型アデノウイルスとなる。テロメラーゼ陽性細胞（がん細胞）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（末梢血循環腫瘍細胞）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 GFP 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ほか、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」*としても将来期待されている。

* 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な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 の検出時間を大幅に短縮するため、2020
 年 6 月に AI 技術開発のベンチャーである（株）CYBO（以下、CYBO 社）と共同開発契約を締結し、AI 技術
 を用いた CTC 自動検出システムの開発に取り組んでいる。CYBO 社は細胞画像を AI で解析して目的細胞を
 分取する革新的な画像活性セルソーター（ENMA）や、高速自動顕微鏡（SHIGI）などを活用して、CTC の
 自動解析用ソフトウェアを 2020 年内に完成させる予定となっている。実用化されれば今まで 4～5 時間要
 していた検査工程が数分程度で可能となり、実用性が格段に向上することになる。既に、AI 判定と目視によ
 る判定結果の一致率は 90% 以上の水準となっており、完成まであと一歩のところまできている。同社ではソ
 フトウェア完成後に、提携先の米リキッド社でシステム評価を行い、問題がなければ潜在需要が大きいアジア
 地域でのライセンス活動を展開していく予定にしている。

また、アカデミアとの研究開発も国内外で進んでいる。順天堂大学や米 NRG オンコロジーとは肺がん患者の
 術後の CTC 検査を定期的実施し、CTC の増減をチェックすることで投与された治療薬の効果の有無を確認
 している。CTC の数が減っていれば治療効果があるが、逆に CTC が増えていけば違う治療法を選択する際
 の判断材料となる。また、アーリーステージの肺がん患者の超早期発見が AI 技術で可能かどうか今後、研
 究していく予定となっている。ペンシルベニア大学の臨床研究によれば、アーリーステージの患者における
 CTC の検出率はテロメスキャンで 90% 以上（他の検査薬は 10% 程度）となっており、AI 技術によって短期
 間で検査できる体制が整えば、肺がんの診断薬として普及が進む可能性も出てくる。

オンコリスバイオファーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

開発パイプラインの動向

また、リキッド社がニューヨーク大学と共同で2019年より開始した子宮頸がん検査の臨床試験は、子宮頸がんの発症原因となるHPVウイルスがCTCにのみ存在することを利用して、発症の有無を診断する試験となる。従来、子宮頸がん検査は子宮頸部の細胞を採取する必要があったため患者の身体的負担が大きく、受診率が低い要因となっていた。テロメスキャンは血液検査のため受診がしやすく、子宮頸がんの早期発見に役立つほか術後再発も容易に検査できるようになり、医療費全体の削減につながる効果も期待されている。

なお、テロメスキャンの改良型であるテロメスキャン F35 については、AI による CTC 自動検出技術が確立されれば、その長所が打ち消されることになるため※、今後はテロメスキャンに特化して事業展開していくものと予想される。

※ テロメスキャン F35 ががん細胞のみに反応して蛍光発光する（ただし、輝度は低い）のに対して、テロメスキャンは白血球も若干発光するため、白血球を事前に除去する工程が必要であったが、AI 自動検出技術が確立されれば CTC と白血球も分別することが可能となる。

(3) 競合状況

テロメスキャンのターゲット市場となる CTC の検査市場では、現在米 Veridex の CellSearch システムが唯一欧米市場で販売承認を受けており、乳がん・大腸がん・前立腺がんの CTC 検出において使用されている。また、CTC 検査だけでなく血中循環腫瘍 DNA (ctDNA) 検査など遺伝子検査技術を開発する企業も増えてきており、競争が激しい市場となっている。

こうしたなかで、テロメスキャンは肺がん細胞を始めとするほとんどのがん種において、CTC の検出が可能なか、生きている CTC や悪性度の高い間葉系がん細胞も捕捉できることが特徴となっている。また、がん転移後の CTC を分析することで患者ごとに最適な治療法が選択可能となるコンパニオン診断としての活用も将来的に見据えている。今後、臨床試験により更なるデータを蓄積するとともに、CTC の自動検出システムを完成させることで検査工程における生産性を飛躍的に向上し普及拡大を目指していく考えだ。

「OBP-601」は ALS 等の神経変性疾患向け治療薬として 米ベンチャー企業と新規ライセンス契約を締結

5. その他パイプライン

(1) OBP-601 (センサブジン)

核酸系逆転写酵素阻害剤「OBP-601」に関しては2020年6月に、トランスポゾン社との間で、主に神経変性疾患（ALS、アルツハイマー病等）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ことを発表した。ライセンス契約の総額は3億米ドル以上となる。

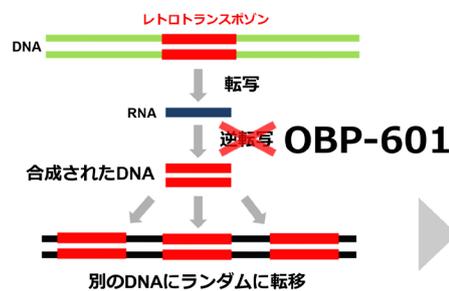
「OBP-601」は従来、HIV 治療薬として開発を進めてきたが、米国ブラウン大学が実施した動物実験の結果により、「OBP-601」がレトロトランスポゾンの逆転写と複製を抑制し、脳内への高い移行性を示すことが確認された。レトロトランスポゾンが複製されると、遺伝子の突然変異が起こりやすくなり、様々な反応により神経細胞を傷つけることで神経変性疾患が発症し、症状が悪化すると考えられている。「OBP-601」がこうした逆転写や複製を抑制することで、症状の悪化スピードを遅らせる効果が期待されている。

開発パイプラインの動向

今後、トランスポゾン社は同社が実施してきた HIV 対象の前臨床試験及び臨床試験のデータを活用し、主に神経変性疾患を適応対象とした臨床試験を行っていく予定で、そのための資金調達を進めている段階にある。開発資金の目途が付けば、2021 年後半にも米国で第 1/2 相臨床試験の IND 申請を行う見通しだ。ALS 患者数は米国で約 3 万人、世界で約 40 万人となり、現在はまだ根治薬がなく、進行スピードを遅らせる治療薬として 2 品目が承認されるにとどまっている（年間売上規模は 2 品目合計で約 410 億円）。ただ、これら承認品目の治療効果は十分ではなく、治療効果の高い製剤が開発されればシェアを獲得する可能性は十分あると見られ、今後の開発動向が注目される。

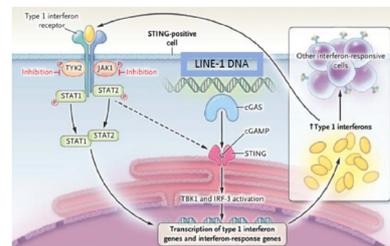
レトロトランスポゾン

レトロトランスポゾン=RNA型トランスポゾン



※出所：Molecular Cell 2019；75(6)：1286-1298

出所：決算説明会資料より掲載



※出所：N Engl J Med 2014；371:507-518

運動ニューロンにダメージ
 ⇒神経変性疾患の原因

1. ALS患者数：世界約40万人
 (米国：約3万人 / 日本：約1万人)
※出所：一般社団法人日本ALS協会公開情報
2. Alzheimer病患者数：世界約3,500万人
 (米国：約520万人 / 日本：約53万人)
※出所：HPIほか公開情報を基に当社作成

(2) OBP-801 (HDAC 阻害剤)

「OBP-801」は、2015年5月より米国で進行性固形がん患者を対象に第1相臨床試験を開始したが、Cohort3（高容量群）で用量制限毒性が6例中2例発生したため現在は新規患者の組み入れを中断している。現在は、免疫チェックポイント阻害剤と低容量の「OBP-801」による併用療法で開発を進めていくことが可能かどうかを検討するため、各種データの収集を行っている段階にある。

主要パイプラインの物質特許を各国で取得済み

6. 特許取得状況

主要パイプラインであるテロメライシンの特許権は同社と関西 TLO(株)が共同保有しており、海外では同社が単独で保有権を持ち、現在は日米欧を含む 24 ヶ国で特許を取得している。また、テロメスキャンは同社が特許権を保有しており日米含む 10 ヶ国で、テロメスキャン F35 については日米欧中韓を含む 13 ヶ国以上で特許を取得するなど、知財戦略についても重要な経営戦略の 1 つとして位置付けている。

オンコリスバイオフィーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

開発パイプラインの動向

主要パイプラインの特許の状況

パイプライン	適応症	特許権者	同社保有権	備考
OBP-301 (テロメライシン®)	食道がん、肝細胞がん等の固形がん	同社、 関西 TLO (株)	日本は同社と関西 TLO で共有、 海外は同社単独保有	日米欧含む 24 ヶ国で物質特許取得 (日本 以外は同社単独特許)
OBP-601 (センサブジン)	HIV 感染症等	Yale 大学他	世界における独占的実施権保有	日米欧含む 16 ヶ国で物質特許取得
OBP-801 (新規分子標的抗がん剤)	各種がん、 眼科領域	アステラス製薬 (株)	世界における独占的実施権保有	日米欧含む 20 ヶ国で物質特許取得
OBP-401 (テロメスキャン®)	がんの 対外検査	同社	特許権者	日米欧含む 10 ヶ国で物質特許取得、更に テロメライシンの項目に記載の特許によっ ても保護される
OBP-1101 (テロメスキャン F35)	がんの 対外検査	国立研究開発法人 医薬基 盤・健康・栄養研究所	世界における独占的実施権保有	日米欧含む 13 カ国以上で物質特許を取得、 更にテロメライシン、テロメスキャンの項 目に記載の特許によっても保護される

出所：有価証券報告書、会社資料よりフィスコ作成

業績動向と財務状況

2020年12月期第3四半期累計業績は減収

1. 2020年12月期第3四半期累計業績の概要

2020年12月期第3四半期累計業績は、売上高で前年同期比67.5%減の207百万円、営業損失で1,167百万円(前
 年同期は586百万円の損失)、経常損失で1,185百万円(同587百万円の損失)、四半期純損失で1,545百万円(同
 590百万円の損失)となった。

2020年12月期第3四半期累計業績

(単位：百万円)

	19/12期3Q累計	20/12期3Q累計	増減額
売上高	640	207	-432
売上総利益	580	133	-447
販管費	1,167	1,300	133
(研究開発費)	409	647	237
営業利益	-586	-1,167	-580
経常利益	-587	-1,185	-598
四半期純利益	-590	-1,545	-954

出所：決算短信よりフィスコ作成

オンコリスバイオフーマ | 2020年12月3日(木)
 4588 東証マザーズ | <https://www.oncolys.com/jp/ir/>

業績動向と財務状況

売上高については、トランスポゾン社との「OBP-601」の新規ライセンス契約締結に伴う契約一時金収入や岡山大学からの次世代テロメライシン「OBP-702」に関する業務請負収入等が新たに発生した。販管費の主な増減要因で見ると、新規パイプラインの開発進展により、研究開発費が前年同期比 237 百万円増加した。

事業セグメント別の収益動向を見ると、医薬品事業はトランスポゾン社からの契約一時金収入、台湾のメディジェンからのテロメライシンに関する開発協力金収入※、岡山大学からの業務請負収入等が発生し、売上高で 207 百万円（前年同期比 428 百万円減）、営業損失で 496 百万円（前年同期は 74 百万円の利益）となった。

※テロメライシンに関する開発費用の負担軽減を目的にメディジェンとの共同開発契約の改定を 2017 年 3 月に実施。従来、対象を肝細胞がんのみとしていたのに対して、新たに食道がんとメラノーマの共同開発権も付与した。以降、食道がん、メラノーマの研究開発費用の一部をメディジェンから開発協力金として受領している。

一方、検査事業は売上高で 0.4 百万円（前年同期比 4 百万円減）、営業損失で 34 百万円（前年同期は 147 百万円の損失）となった。

また、特別損失として 2020 年 9 月に米 Unleash Immuno Oncolytics, Inc.（以下、アンリーシュ社）から引き受けた転換社債 321 百万円を全額、投資有価証券評価損として計上するほか、転換社債に係る未収利息分 35 百万円を貸倒損失として計上している。

アンリーシュは、転移がんに適応できる全身投与可能（点滴注射）な遺伝子改変型アデノウイルスの開発を行うベンチャー企業で、同社は次世代テロメライシンの開発強化を目的に 2018 年 2 月に資本提携を行った※。ただ、遺伝子改変型ウイルスの開発に時間を要しているほか、資金調達を含めた事業計画も遅延している状況にあり、今回、保守的な会計方針に則り損失計上することとした。ただ、アンリーシュの技術力そのものは同社でも高く評価しており、引き続き提携関係を継続していく。このため米国の子会社、OPA Therapeutics Inc. の社長をアンリーシュへ派遣して、資金調達の実行による経営の安定化と遺伝子改変型ウイルスの完成に取り組んでいく方針となっている。

※同社が現在、進めている第 3 世代テロメライシンの開発と方向性が合致することから資本提携に至った。同社はアンリーシュの転換社債 3 百万米ドルを引受けており、すべて転換した場合の議決権比率は約 27% となる見込み。

2. 2020 年 12 月期の業績見通し

2020 年 12 月期の業績見通しについては、業績に与える未確定な要素が多く、適正かつ合理的な数値算出が困難なため非開示としている。今後もテロメライシンの開発協力金や次世代テロメライシンの業務請負収入、テロメスキンの販売収入などの売上が期待されるものの、金額的には軽微となる見通しだ。また、新型コロナウイルスの影響で国内、米国とも臨床試験の進捗が全般的に遅れ気味となっていることから、計画を下回る可能性もある。

次世代テロメライシンなどその他パイプラインの開発を進め、 更なる企業価値向上を目指す

3. 中長期の成長イメージ

同社はテロメライシンを中外製薬に導出したが、更なる価値向上を図るため、米国で複数の医師主導治験を進めており、中外製薬によるオプション権行使につなげていきたい考えだ。中外製薬では当面、国内での食道がん（放射線併用療法）を対象とした上市を最優先に取り組んでいくものと思われるが、本来の目的は自社の免疫チェックポイント阻害剤であるアテゾリズマブとの併用療法による開発を進め、アテゾリズマブの市場価値を高めていくことにあると思われる。このため現在、日米で進められているペムプロリズマブとの併用療法による医師主導治験の結果が良好であれば、米国でもオプション権を行使してグループ会社であるジェネンテックにより、同一対象疾患の企業治験をアテゾリズマブで進めていく可能性が高いと弊社では見ている。これらの開発が進めばマイルストーン収入等の収益獲得も今後見込めることになる。また、最も開発が先行している国内の食道がんを対象とした放射線療法との併用による治験が順調に進めば、先駆け審査指定制度に指定されているため2023年に販売承認・上市が見込めることになる。

当面の業績については研究開発費が先行し、損失が続く可能性が高いものの、2023年以降はテロメライシンの上市が期待されるほか、「OBP-702」・「OBP-601」・「OBP-2001」などその他のパイプラインについてもライセンス契約やマイルストーン収入が得られる可能性がある。また、テロメスキャンについてもAI技術によるCTC自動検出ソフトウェアによる検査系の確立により、2021年以降事業が拡大していくことが見込まれる。これらプロジェクトが順調に進展すれば、2023年以降、業績は収益化ステージに入るものと予想される。

長期的には、第3世代テロメライシン等の開発や医療現場でのニーズが高い難病、希少疾病を対象とした新たな治療薬候補品の導入などにも注力していく方針となっており、収益ポートフォリオを拡充しながら企業価値の更なる向上を目指す戦略となっている。

財務戦略上、資金調達は適時検討していく方針

4. 財務状況

2020年12月期第3四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比1,418百万円減少の2,962百万円となった。主な変動要因を見ると、流動資産では売上高の減少に伴い現金及び預金が1,237百万円減少したほか、投資その他の資産において特別損失発生に伴い投資有価証券が328百万円減少した。

負債合計は前期末比293百万円減少の632百万円となった。有利子負債が16百万円増加した一方で、未払金が196百万円減少した。また、純資産は1,124百万円減少の2,329百万円となった。四半期純損失1,545百万円を計上したことが主因となっている。

手元の現金及び預金は2,095百万円と、今後2年程度の事業活動資金を賄えるだけの財務余力があると見られるが、まだ開発ステージであることに変わりなく、財務戦略上、資金調達は適時検討していく方針となっている。

業績動向と財務状況

貸借対照表

(単位：百万円)

	17/12 期末	18/12 期末	19/12 期末	20/12 期 3Q 末	増減額
流動資産	3,071	2,618	3,826	2,684	-1,142
（現金及び預金）	2,867	2,463	3,342	2,095	-1,247
固定資産	454	811	553	277	-276
総資産	3,526	3,430	4,380	2,962	-1,418
流動負債	239	212	523	237	-286
固定負債	355	316	402	394	-8
負債合計	594	528	926	632	-294
（有利子負債）	437	394	516	533	17
純資産合計	2,931	2,901	3,454	2,329	-1,125
経営指標					
自己資本比率	82.9%	84.3%	78.7%	78.4%	0.3pt
有利子負債比率	15.0%	13.6%	15.0%	21.3%	6.3pt

出所：決算短信よりフィスコ作成

株主還元策

開発ステージのため、無配を継続

同社は現在、研究開発が先行する開発ステージの企業であり、業績は損失が続いていることから、配当は実施していない。今後、期間損益で安定的に利益計上できるようになり、内部留保が充実した段階において、配当についても検討していくものと考えられる。

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・表示したものです。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 5-11-9

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（情報配信部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp