

# 第23回定時株主総会

オンコセラピー・サイエンス株式会社

2024年6月25日

# OTSのミッション

より治療効果が高く、  
より副作用の少ないがん治療薬・治療法を  
一日も早く  
がんに苦しむ患者さんに届けること。  
がんとの闘いに勝つこと。

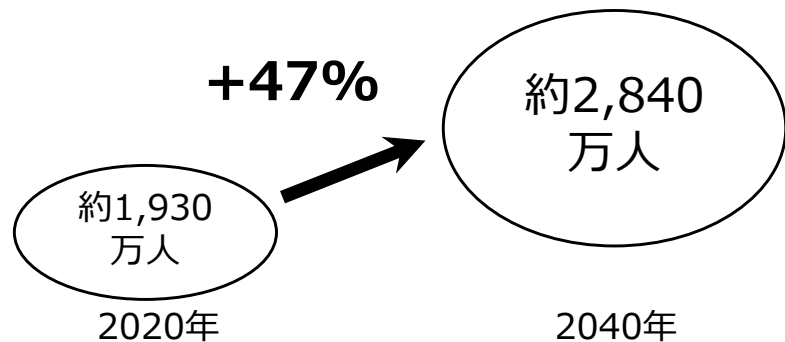
当社グループ

親会社      オンコセラピー・サイエンス株式会社（略称OTS）

連結子会社      株式会社Cancer Precision Medicine（略称CPM）

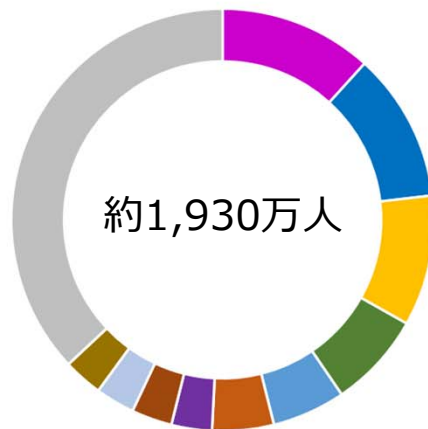
# 世界的ながん治療薬開発の動向

## 世界におけるがん患者数

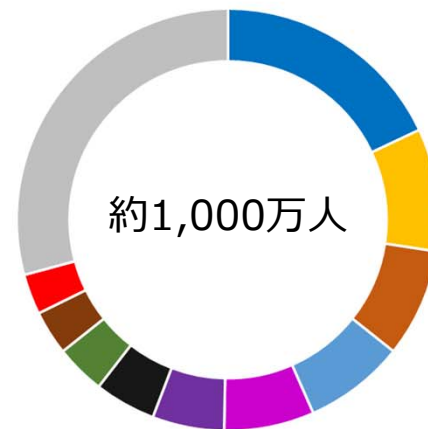


※新たに診断されたがん罹患の数

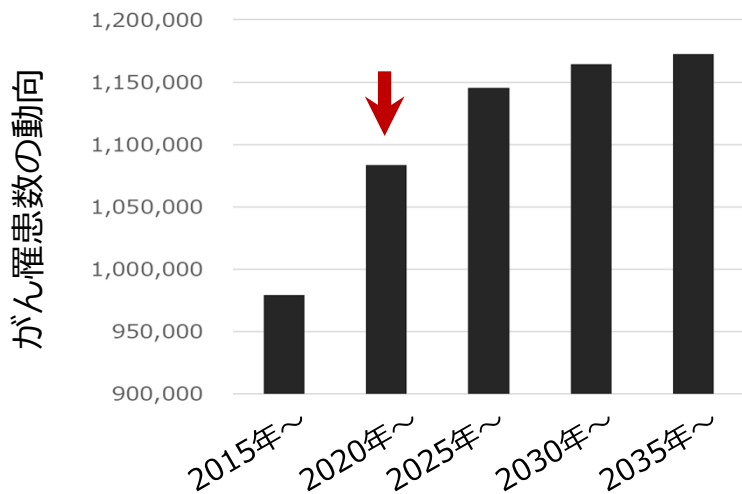
## 世界のがん罹患数※



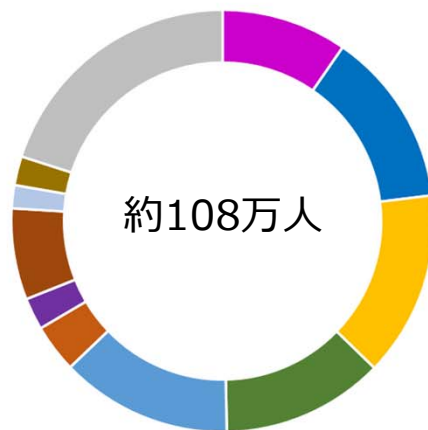
## 世界のがん死亡数



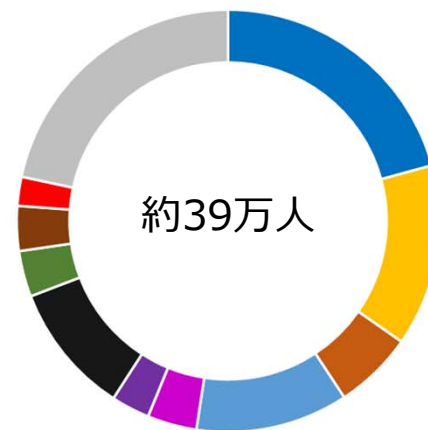
## 国内のがん患者数



## 国内のがん罹患数※



## 国内のがん死亡数



乳房	前立腺	食道	膀胱	その他
肺	胃	子宮	膵臓	
大腸	肝臓	甲状腺	白血病	

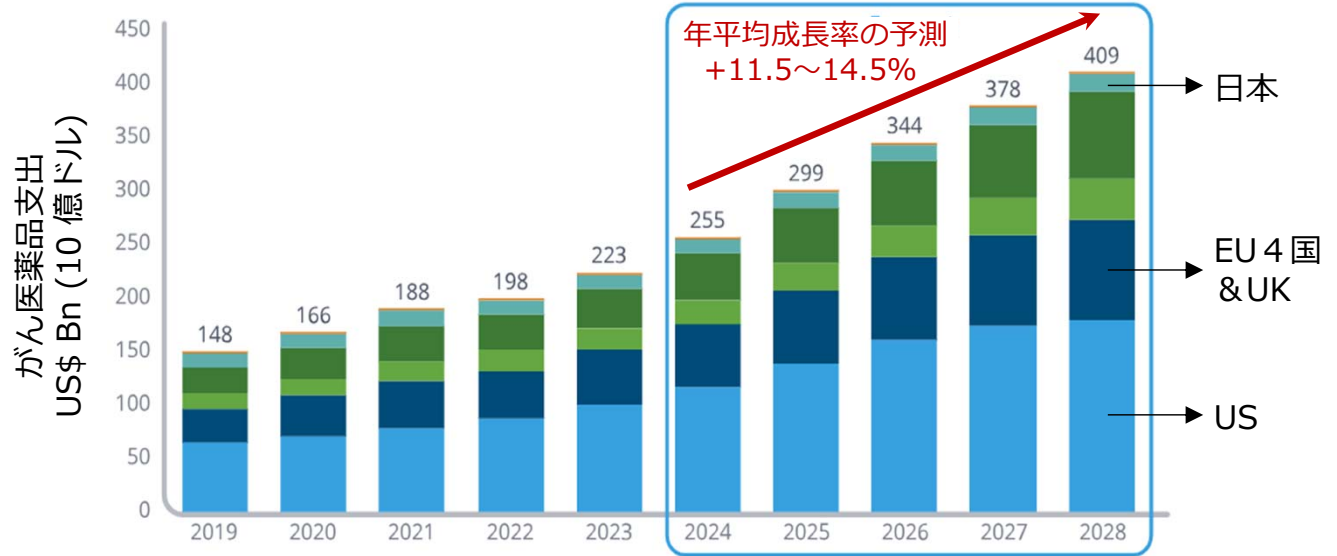
出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin.

平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)(一般)日本人におけるがんの原因・寄与度：最新推計と将来予測  
国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」

# 世界的ながん治療薬開発の動向

## 世界医薬品市場 (がんのみ)

- 2023年、世界のがん医薬品支出は2,230 億ドルであり、2028年には4,090 億ドルまでの増加が予測される。
- 2024~2028年の年平均成長率 (5-yr CAGR) は、世界平均として 11.5~14.5%、日本では 4~7% が予測される。



出典：IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2024: Outlook to 2028

## 新薬の開発から承認まで



新薬候補  
特許出願

10.1年 (平均)

※ がん以外の新薬開発期間：18年 (平均)  
出典：IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2019

※上記「10.1年」「18年」は研究期間・開発戦略等に要する期間、その他治験薬特性や対象疾患等様々な特殊要因を持つ試験は含まず、画期的治療薬の統計上の数字 (平均) として公表されているものです。当社治験期間の参照とするものではありません。

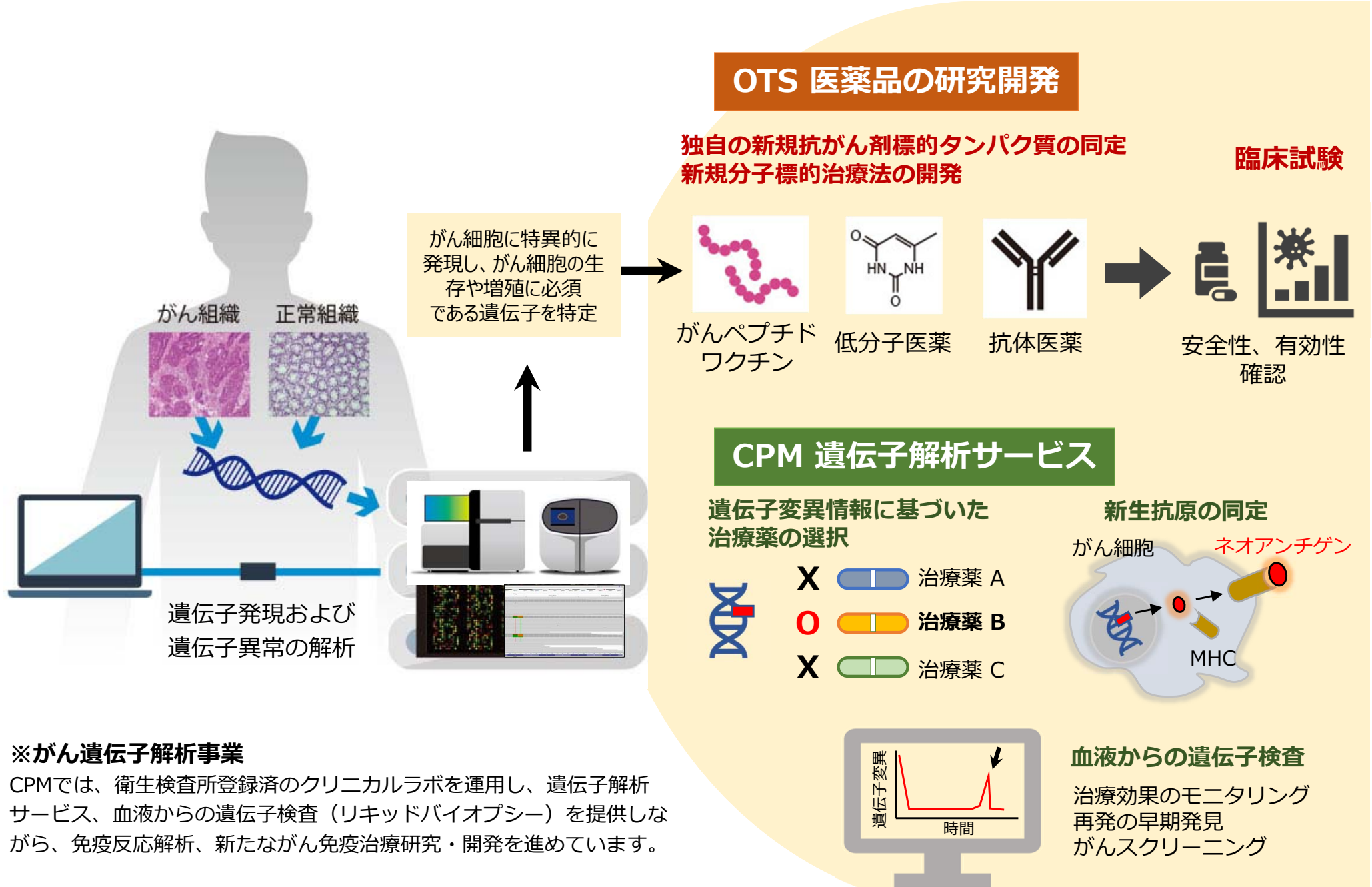
科学的エビデンス  
新たな作用機序と開発戦略  
バイオマーカー  
(生物学的指標)

画期的治療薬指定  
優先審査制度  
迅速承認制度

開発期間短縮に  
つなげる動き

※FDA (米国食品医薬品局) プログラム

# 当社グループの事業領域～主要ビジネスモデル～



## ※がん遺伝子解析事業

CPMでは、衛生検査所登録済のクリニカルラボを運用し、遺伝子解析サービス、血液からの遺伝子検査（リキッドバイオプシー）を提供しながら、免疫反応解析、新たながん免疫治療研究・開発を進めています。

# 当社グループの事業領域～主要ビジネスモデル～

有効な治療法のないがん患者さんへ  
副作用の少ない効果的な治療薬・治療法を提供する



革新的な新規がん治療薬のニーズ



候補品導出

ライセンス導出先  
(製薬会社など)

契約一時金  
マイルストーン  
ロイヤリティー

OTS  
医薬品  
研究開発

新たな治療薬の開発

最先端技術  
企業価値向上  
事業提携機会

がん治療の課題

適切な人に  
適切なタイミングで  
適切な治療法を提供する

がん個別化医療の市場拡大



解析結果納品

研究機関  
医療機関

解析サービス等  
による収入

CPM  
遺伝子  
解析

安定的な収益の確保  
遺伝子解析ノウハウの蓄積

# OTSグループの特徴

## 革新的基盤技術に基づく創薬モデル

**がん特異的遺伝子の特定**

1,000例以上の臨床検体（患者数 20～80 名/ がん種）

**がん細胞の生存または増殖に必須であるか確認**

がんペプチド  
ワクチン

抗体医薬

低分子医薬

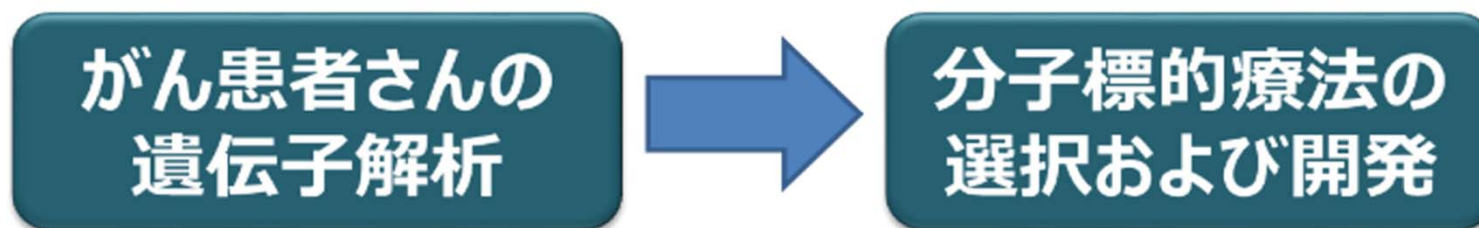
- ✓ 大学・研究機関との提携、共同研究
- ✓ 科学的エビデンスを論文・学会発表

# OTSグループの特徴

## がんプレシジョン医療を推進する事業展開

### がんプレシジョン医療とは

適切な人に適切なタイミングで適切な治療を提供すること



- 生存率の向上
- 高精度にがんを狙う
- 副作用の緩和等

患者さんごとに最適な治療を提供できるように



# 開発パイプライン（2024.6現在）

治験薬	種類/ 作用機序	対象疾患	開発ステージ				開発国/ 地域	導出先 etc.
			非臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
S-588410	がんワクチン	食道がん	P3終了				日本	塩野義製薬株式会社
S-588410	がんワクチン	膀胱がん	P2終了				日本/欧州	塩野義製薬株式会社
S-488210	がんワクチン	頭頸部がん	P1終了				欧州	塩野義製薬株式会社
S-588210	がんワクチン	固形がん					英国	塩野義製薬株式会社
OTSGC-A24	がんワクチン	胃がん					シンガポール/韓国	医師主導治験
OTSA101	FZD10抗体 ( <sup>90</sup> Y標識)	滑膜肉腫	登録終了				日本	
抗アミロイドβ ペプチド抗体	Aβ抗体	アルツハイマー型 認知症	P1終了（欧州/日本）				—	
OTS167	低分子 MELK阻害剤	白血病	登録終了				米国	
OTS167	低分子 MELK阻害剤	乳がん					米国/日本	
OTS964等	低分子 TOPK阻害剤	—					—	

注：創薬研究領域では、複数のがん特異的蛋白質を標的とする低分子化合物の新規化合物合成と構造活性相関研究を進行中。また、自社化合物ライブラリを活用した複数の低分子化合物候補品を評価中。

# 第23期（2024年3月期）の研究開発トピック

## 新規化合物

- 2023.5 研究進捗のお知らせ
- 2023.8 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所との共同研究契約締結
- 2024.3 研究進捗のお知らせ

## OTSA101

- 2023.12 国内における第 I 相臨床試験の患者登録終了

## がん抑制因子活性化創薬

- 2024.3 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所との共同研究契約締結

## 獣医療分野における臨床検査事業着手

- 2024.1 当社連結子会社での獣医療分野における臨床検査事業着手

## その他

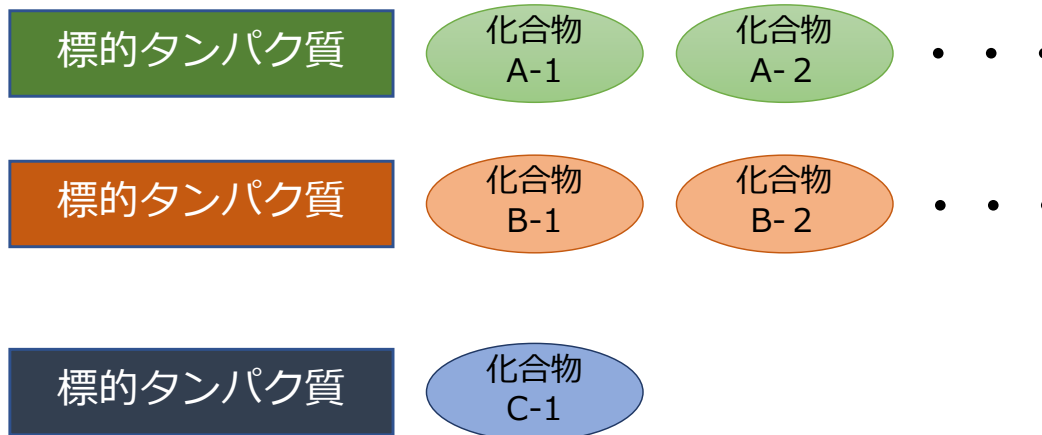
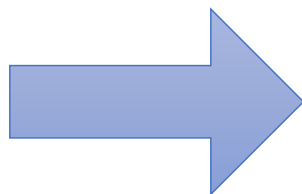
- 2023.10 AMED「日本医療研究開発機構革新的がん医療実用化研究事業」への徳島大学研究プロジェクト（研究開発分担者）の採択

# 当社独自化合物ライブラリの活用

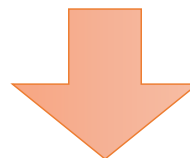
- 創薬研究により蓄積された独自の化合物ライブラリおよび付随データを保有。
- がんに限らず、様々な疾患の治療標的となり得るタンパク質に対して強い阻害活性を示す化合物が複数存在。
- その用途について、引き続き情報収集を行うと共に、ライブラリの価値を利用した活用方法（共同研究等）を検討する。

## 独自化合物ライブラリを、新たな創薬標的プロジェクトのために活用する

独自化合物ライブラリ



**開発候補品探索**



⇒ **臓器線維症の治療標的（リン酸化酵素）阻害剤**

2022/10/31 新規化合物に関する研究着手のお知らせ

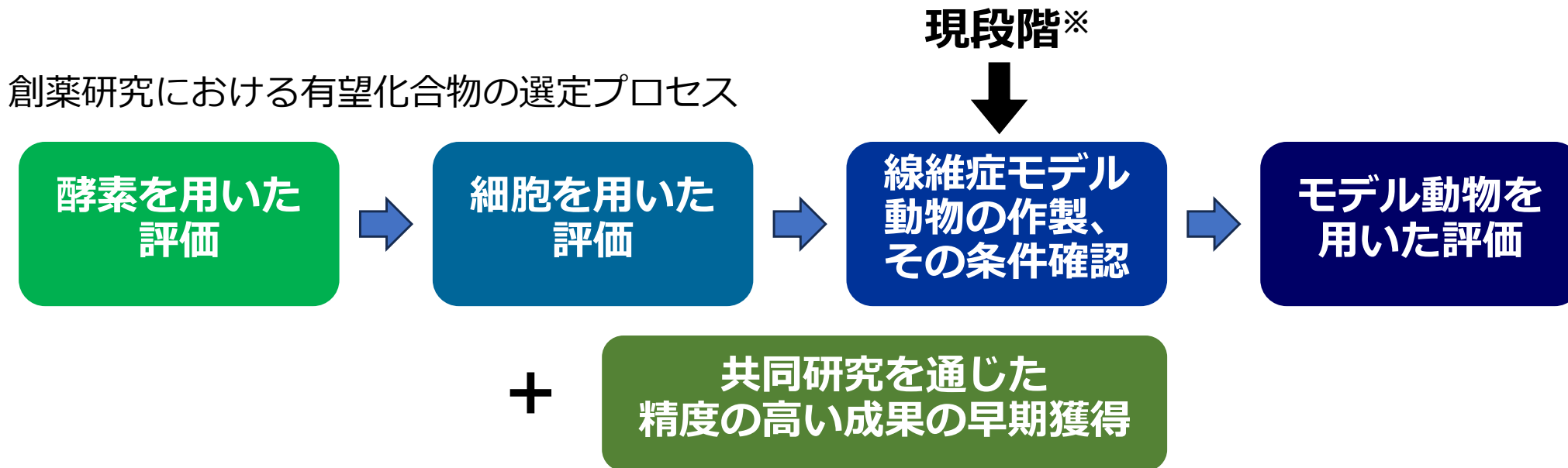
[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/10/221031\\_01.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/10/221031_01.pdf)

⇒ **FLT3（FMS-like tyrosine kinase 3）阻害剤**

2022/4/11 FLT3阻害剤に関する研究結果の学会発表のお知らせ

[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/04/220411\\_01.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2022/04/220411_01.pdf)

# 臓器線維症の治療標的（リン酸化酵素）阻害剤



- 細胞を用いた評価で、複数の化合物が臓器線維症の発症機序を阻害することを確認しており、動物試験での薬効確認後、非臨床・臨床試験に向け、さらに化合物を選定する。
- また、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（NIBIOHN）との共同研究を通じ、精度の高い成果の早期獲得および化合物の価値向上を目指している。
- ただし、当社は臓器線維症については開発ノウハウを持たないため、単独開発ではなくライセンスアウトが目標。
- ※薬効評価に使用する線維症モデル動物の作製及びその条件確認に当初の予定より時間を要することが判明し、現在、モデル動物作製条件の再確認を実施している。

2023/8/4 新規化合物に関する共同研究契約締結のお知らせ

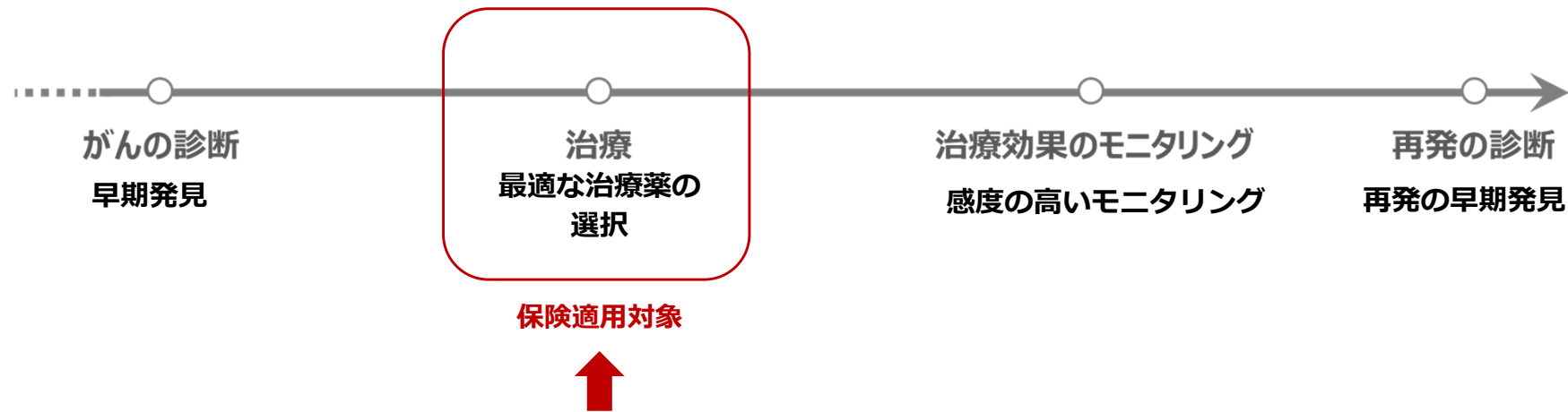
[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/08/230804\\_01.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/08/230804_01.pdf)

2024/3/19 新規化合物に関する研究進捗のお知らせ

[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240319\\_02.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240319_02.pdf)

# CPM社 新規がん遺伝子パネル検査の開発着手

リキッドバイオプシーは、がんの診断から治療薬の選択、治療効果および再発モニタリングまでさまざまなタイミングで繰り返し利用することが期待されている検査です。



一方で、現状のリキッドバイオプシーパネル検査の保険適用対象者は、**以下の方に対して1回だけ認められています。**

- ・ 原発不明がんや希少がんなどの**標準治療がない**固形がん患者さん
- ・ 局所進行あるいは転移が認められ**標準治療が終了となった**（見込み含む）固形がん患者さん

⇒ リキッドバイオプシーの利点を活かし、「適切なタイミングで」「繰り返し」検査を行う医療を実現するため、**新規がん遺伝子パネル検査の開発に着手**

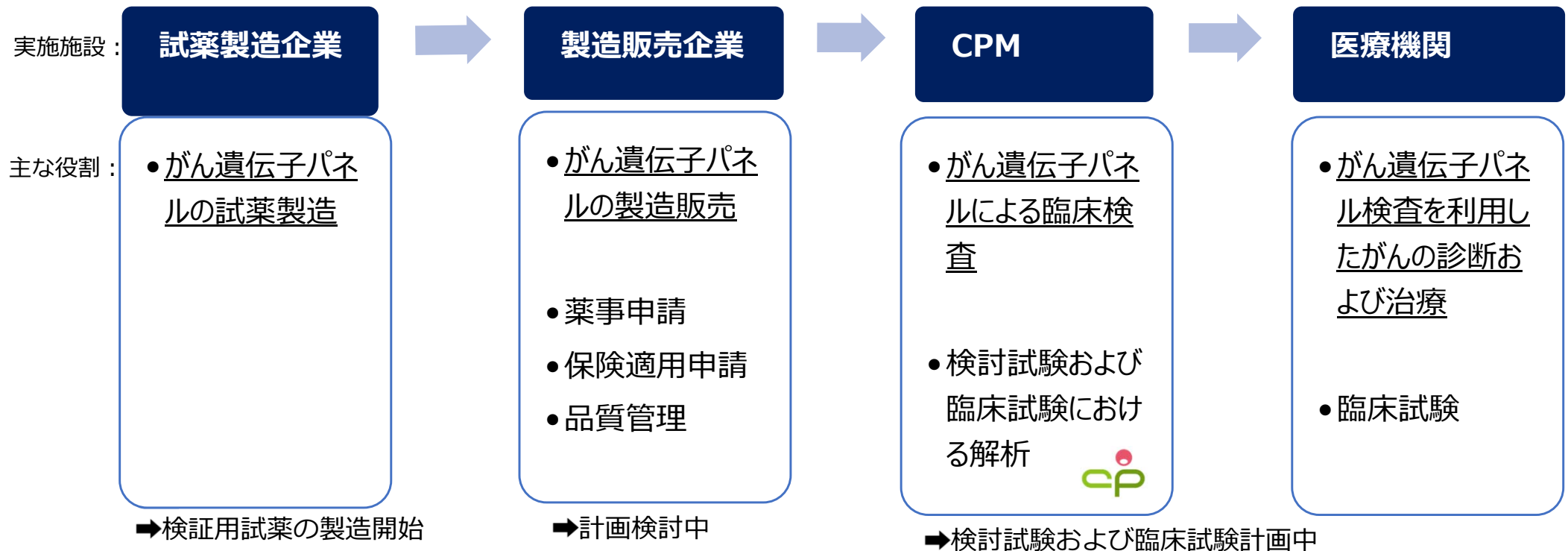
# CPM社 新規がん遺伝子パネル検査の開発着手

リキッドバイオプシーの利点を活かし、適切なタイミングで繰り返し利用できる新規がん遺伝子パネルの開発を目指す。

## 新規がん遺伝子パネル検査の概要：

- さまざまな固形がんに共通するがん遺伝子変異を対象としたパネル
- クローン性造血（※）に関連する遺伝子変異を含む
  - ※血液細胞が増殖する過程で、遺伝子変異を伴う現象。  
加齢やがんの治療等によって増加し、血液がん等の疾病の発症リスクに関連する。
- 保険診療下でも実施可能なパネル検査を目指す

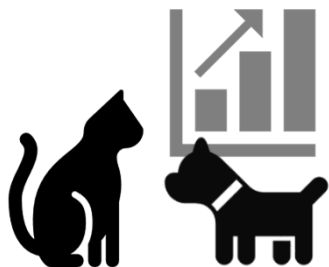
## 保険診療下での検査提供の流れ



# CPM社 獣医療分野へのアプローチ

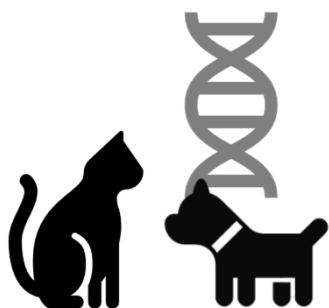
がんの臨床検査および免疫療法に関するノウハウを活かし、獣医療分野における臨床検査事業に着手

## 背景



- ペットの高齢化、医療の高度化による市場拡大
- ゲノムデータの蓄積が十分でなく、ゲノム医療や創薬研究が十分に展開できていない

## CPMのアプローチ



- がんの早期発見および再発モニタリングのためのリキッドバイオプシーや、ネオアンチゲンを利用したがん免疫療法のための遺伝子解析等の臨床検査のノウハウを活かす
- 獣医療分野の研究機関等と連携して臨床検査の有用性について検討し、獣医療分野への貢献を目指す

※2024/1/30 当社連結子会社での、獣医療分野における臨床検査事業着手のお知らせ

[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/01/240130\\_01.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/01/240130_01.pdf)

※2024/3/5 当社連結子会社における、公立大学法人大阪との獣医療分野におけるリキッドバイオプシーに関する共同研究契約締結のお知らせ

[https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240305\\_01.pdf](https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240305_01.pdf)

# CPM社 受託解析サービス事業

CPM社では、次世代シーケンス解析および免疫解析の技術を活かした受託解析サービス事業を展開している。市場動向や顧客からの要望を踏まえ、新規技術の導入およびサービス拡充を進めている。

## 新規技術導入・サービスの拡充実績

### ● 新規技術を用いたシングルセルRNAシーケンス解析

HIVE CLX™ Single-cell RNAseq Solution (Revvity, Inc. : 旧PerkinElmer, Inc.) を用いて、サンプルストレージからシングルセルRNAシーケンス解析まで一貫して行う。

特別な機器を使用せずに生細胞を迅速にシングルセル化し、凍結保存することが可能。

また、マイクロ流路を使用しない細胞キャプチャにより、これまで困難だった顆粒球などの脆弱な細胞の解析が可能。

※2023/10/2 CPMニュースリリース「HIVE CLX™ Single-cell RNAseq Solutionを用いたシングルセルRNAシーケンス解析受託開始のお知らせ」

<https://www.cancerprecision.co.jp/news/detail.php?id=49>

### ● RNAシーケンス解析におけるデータ解析オプション拡充

ヒト・マウス等のRNAシーケンスデータを用いて、遺伝子発現に関する各種データ解析を行うオプション項目を拡充した。

※2023/12/4 CPMニュースリリース「RNAシーケンス解析におけるデータ解析オプション拡充のお知らせ」

<https://www.cancerprecision.co.jp/news/detail.php?id=50>

### ● 他社パネルを用いたリキッドバイオプシー臨床検査の開始

血液検体（リキッドバイオプシー）から523遺伝子を対象にした包括的ゲノムプロファイリングを行う臨床検査。

1塩基変異（SNV）、挿入・欠失（Indel）、コピー数変異（CNV）および融合遺伝子（Fusion gene）の検出、および腫瘍免疫バイオマーカーとなる腫瘍変異負荷（TMB）、マイクロサテライト不安定性（MSI）の測定が可能。

科学的根拠・薬剤承認情報・治療ガイドラインに基づき、得られた遺伝子変異情報に関連する分子標的治療薬や臨床試験の情報を提供する。

※2024/4/22 CPMニュースリリース「新規実施項目のお知らせ」

<https://www.cancerprecision.co.jp/news/pdf/LAB%EF%BC%8FBRO%EF%BC%8FINF01->

[15\\_%E6%96%B0%E8%A6%8F%E5%AE%9F%E6%96%BD%E9%A0%85%E7%9B%AE%E3%81%AE%E3%81%8A%E7%9F%A5%E3%82%89%E3%81%9B.pdf](https://www.cancerprecision.co.jp/news/pdf/LAB%EF%BC%8FBRO%EF%BC%8FINF01-15_%E6%96%B0%E8%A6%8F%E5%AE%9F%E6%96%BD%E9%A0%85%E7%9B%AE%E3%81%AE%E3%81%8A%E7%9F%A5%E3%82%89%E3%81%9B.pdf)

### ● 新規大型高速解析機器の導入

旧機種と比較して、約2.5倍のデータ量を取得可能



# 継続企業の前提に関する注記解消に向けて

## ① 「がんプレジジョン医療関連事業」への経営資源の集約による経営基盤安定化

課題	取り組み状況（2024.3期）
CPM社「がんプレジジョン医療関連事業」セグメントの受注拡大及び利益率の向上	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 全ゲノム解析等実行計画への参画ならびに貢献</li><li>・ 国内だけでなく海外受注拡大を目指して営業活動や検査能力拡大等、社内体制強化中</li><li>・ 受注能力・解析能力拡大のため新規大型高速解析機器を導入し2024.3期（4Q）稼働開始</li></ul>
CPM社の新規がん遺伝子パネル検査の優先的開発	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 今後保険診療下で実施可能なパネルの開発、米国及びアジア諸国の受託連携について法令等踏まえ検討中</li></ul>
CPM社の新規検査項目の追加	<ul style="list-style-type: none"><li>・ イヌやネコなどの獣医療分野への参入を目指し開発着手。公立大学法人大阪と、獣医療分野におけるリキッドバイオプシーに係る共同研究契約を締結</li></ul> <p>2024.1 当社連結子会社での、獣医療分野における臨床検査事業着手のお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/01/240130_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/01/240130_01.pdf</a></p> <p>2024.3 当社連結子会社における、公立大学法人大阪との獣医療分野におけるリキッドバイオプシーに関する共同研究契約締結のお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240305_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240305_01.pdf</a></p> <ul style="list-style-type: none"><li>・ 市場の需要にあわせ検査項目を随時追加中 <a href="https://www.cancerprecision.co.jp/news/?cat=tab1">https://www.cancerprecision.co.jp/news/?cat=tab1</a></li></ul>

# 継続企業の前提に関する注記解消に向けて

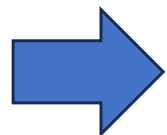
## ②「医薬品の研究及び開発」関連事業における早期ライセンスアウトの企図及び開発計画の実行

課題	取り組み状況
臓器線維症に対する新規化合物に関する研究、早期データ集約によるライセンス活動及び価値向上	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 当社の複数の化合物が他者論文と同様に臓器線維症の発症機序を阻害することを確認 2023.5 新規化合物に関する研究進捗のお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/05/230515_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/05/230515_01.pdf</a></li><li>・ 国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（NIBIOHN）と、臓器線維症に関する新規化合物の創薬研究について共同研究契約を締結 2023.8 新規化合物に関する共同研究契約締結のお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/08/230804_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2023/08/230804_01.pdf</a></li><li>・ 2024.3までにモデル動物を用いた薬効評価結果判明を目指していたが、予備動物試験で薬効評価に使用する線維症モデル動物の作製及びその作成条件の再確認が必要なことが判明し、継続して実施中 2024.3 新規化合物に関する研究進捗のお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240319_02.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/03/240319_02.pdf</a></li></ul>
自社化合物ライブラリを活用し、新規化合物等の開発候補品を探索	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 大規模の化合物ライブラリを効率的に分析するため、AIなど最新技術を活用する研究を検討</li></ul>
当社パイプラインOTS167等の外部委託費用削減、新たな費用の抑制及び補助金活用等	<ul style="list-style-type: none"><li>・ ライセンスアウト済パイプラインは影響なし</li><li>・ 当社実施のOTS167は、乳がんに対する第 I 相臨床試験を米国及び日本で実施中。急性骨髄性白血病に対する米国での第 I / II 相臨床試験は患者登録が終了し、静脈内反復投与における安全性を確認。</li></ul>

# 継続企業の前提に関する注記解消に向けて

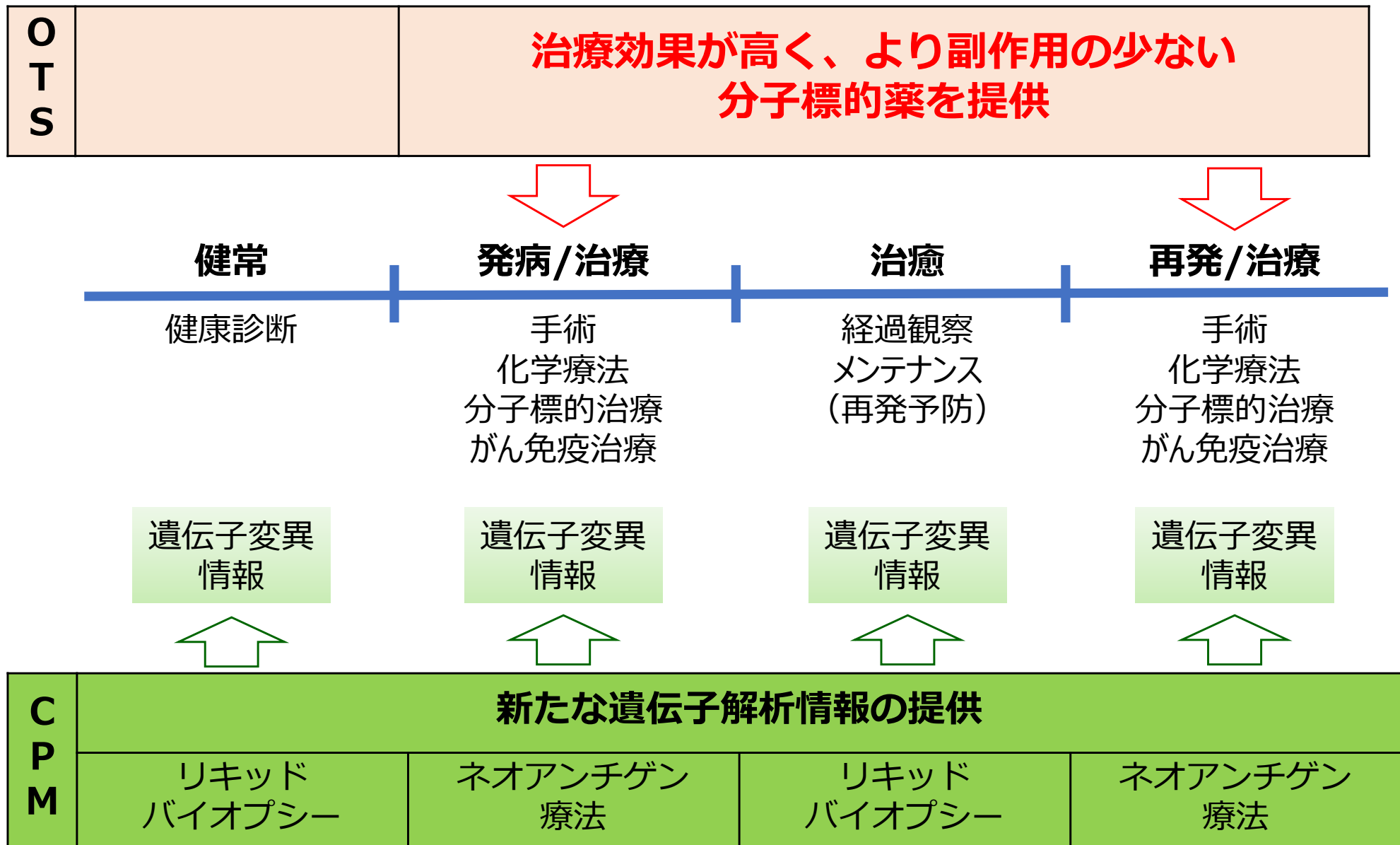
## ③適時適切な資金調達の実施

課題	取り組み状況
資金需要や「がんプレシジョン医療関連事業」の受注状況を踏まえ、適切なタイミングで実施	2024.4 第三者割当による第36回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行を決議、現在新株予約権行使進行中
	2024.4.5 第35回新株予約権の取得及び消却並びに第三者割当による第36回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行に関するお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/04/240405_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/04/240405_01.pdf</a>
	2024.4.22 第35回新株予約権の取得及び消却の完了並びに第三者割当による第36回新株予約権（行使価額修正条項付）の払込完了に関するお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/04/240422_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/04/240422_01.pdf</a>
	2024.6.3 第三者割当による第36回新株予約権（行使価額修正条項付）の月間行使状況に関するお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/06/240603_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/06/240603_01.pdf</a>
	2024.6.5 第三者割当による第36回新株予約権（行使価額修正条項付）の大量行使に関するお知らせ <a href="https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/06/240605_01.pdf">https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2024/06/240605_01.pdf</a>



継続企業の前提に関する注記解消に向けて、上記①～③施策を推進し、収益力の向上と財務体質の強化に取り組みます

# 当社グループ目標への包括的アプローチ



個人の健康ステージに合わせたソリューションの提供



本資料は、投資者に対する情報提供を目的として記載したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。本資料発表日現在の将来に関する前提、見通し、計画に基づく予測が含まれております。これらは現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、今後の経済情勢、市場の変動等に関わるリスクや不確定要因により、実際の業績は予測と大きく異なる可能性があります。

当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。