



2024年7月8日

各 位

会 社 名 オンコリスバイオフーマ株式会社
代 表 者 名 代表取締役社長 浦田 泰生
(コード番号:4588)
問 合 せ 先 執 行 役 員 秦 耕 平
(TEL.03-5472-1578)

お問い合わせへの回答に関するお知らせ

当社は、フェア・ディスクロージャーの観点から、当社にご関心をお寄せいただいているステークホルダーの皆さまへの公平な情報開示の必要性を鑑み、お問い合わせ頂いたご質問に対して、まとめて回答を差し上げています。

1. お問い合わせへの回答

【ご質問①】

前回の資金調達に加えて、第 20 回新株予約権が必要になった背景について教えてください。ビジネス進捗について、従来の想定と異なる事象が何か発生したのでしょうか？

第 20 回新株予約権につきましては、6 月 14 日に開示しました「[第三者割当による第 20 回新株予約権（行使価額修正条項付及び行使停止条項付）の発行及び新株予約権の買取契約（コミット・イシュー）の締結に関するお知らせ](#)」をご確認ください。

2023 年 7 月の第 19 回新株予約権による資金調達の開始時において、テロメライシンの販売提携会社から契約一時金等の収入が発生することを期待していました。

しかし、富士フィルム富山化学と締結した販売提携契約では、契約交渉においてテロメライシンの将来販売収入を重視したため、契約締結前に期待していた契約一時金や新薬承認申請以前に発生する開発マイルストーン収入が盛り込まれませんでした。

また、第 19 回新株予約権による調達資金が当初の予定調達額を下回り（発行時における調達予定資金の額 2,176 百万円に対し、実際の調達額が 1,891 百万円）、調達資金の全額が 2024 年 8 月までに充当予定となっていることも背景にあります。

今回の第 20 回新株予約権の発行の背景は、2023 年に想定した事業収入や財務収入に関して差異が生じたためであり、テロメライシンの承認に向けたプロセスに問題が生じたことに起因しているわけではなく、現時点で国内承認申請時期に変更の予定はありません。

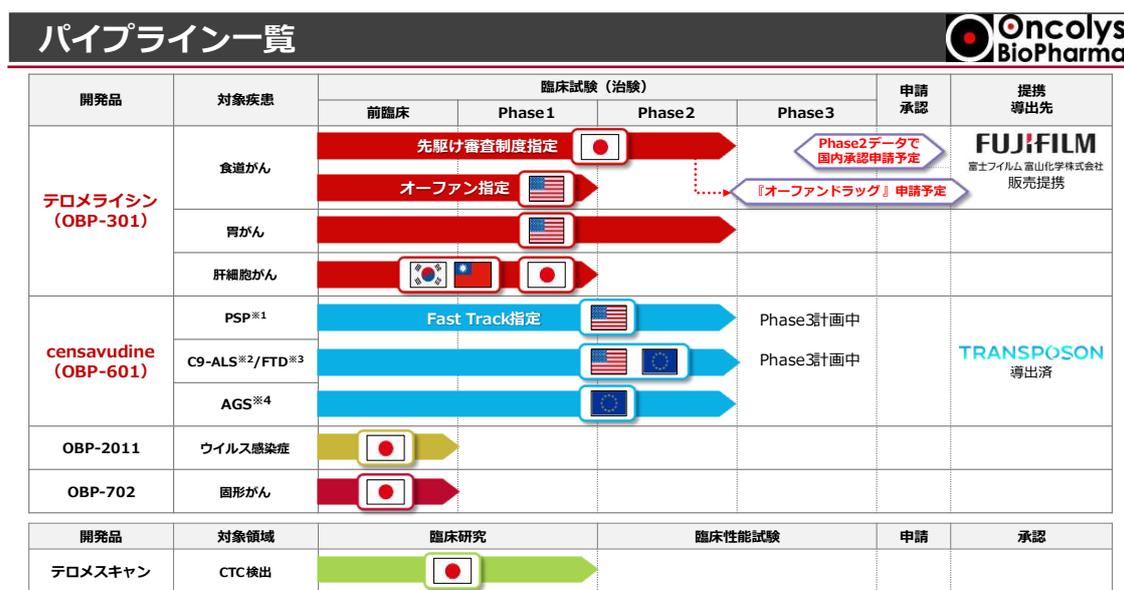
【ご質問②】

OBP-601 (TPN-101) の事業進捗について定期的に教えてください。

LINE-1 阻害剤である OBP-601 は、Transposon 社へライセンス契約を締結しています。したがって、OBP-601 に関する臨床試験結果、ビジネス進捗等について、Transposon 社の合意なしに開示することができません。そのため、定期的な開示ができない点をご理解頂ければ幸いです。

一方で、ステークホルダーの皆様より OBP-601 に関するお問い合わせを頂いております。今後も不定期にはなりますが、疾患に関する情報、Transposon 社との合意の上で開示できる臨床試験の解釈・見解等、皆さまのご理解を深められるような情報開示に努めて参ります。

なお、現在のパイプライン進捗は以下のとおりです。



【ご質問③】

リスボンで行われた AD/PD2024 で、OBP-601 (TPN-101) の PSP (進行性核上性麻痺) に対する Phase 2 臨床試験の結果が発表されました。評価法が確立されていない疾患のため様々な専門家の考えがあると思いますが、見解を述べて頂けないでしょうか。

ご質問に対し、本試験の位置付けと結果の解釈についてご説明いたします。

PSP のような神経変性疾患に対する治療効果について、臨床症状を基に評価するためには、規模が大きく、かつ長い期間が必要となります。一方、治療効果が判然としない中で、いきなり大規模・長期間の臨床試験を行うには大きなリスクが伴います。

ALS (筋萎縮性側索硬化症) 治療薬として昨年米国で販売許可されたバイオジェン社のトフェルセンは、神経変性のバイオマーカーである血清中 NfL (ニューロフィラメント軽

鎖)の上昇抑制効果に基づいて迅速承認制度の下で承認されました。神経変性疾患の臨床症状の変化と NfL 値の変化はタイムリーに相関するものではなく、NfL 値の方が臨床症状よりも早く治療効果を反映すると考えられています。

そこで PSP に対する OBP-601 の治療効果を出来るだけ早く検出するために、短期間且つ小規模の Phase2a 臨床試験で検討しました。臨床効果を反映するためには試験期間が短いことから、脳脊髄液中の NfL や IL-6 (インターロイキン - 6) 等の炎症性神経変性のバイオマーカー値の変化で治療効果を判定することにしました。また小規模な試験ですので、一例一例が全体に及ぼす影響が大きく、一例でも“外れ値”と呼ばれるような異常な値を出してしまうと、統計学的な検証が難しく、結果の解釈が困難になります。

OBP-601 を 400mg 投与された患者さんでは、炎症性神経変性のバイオマーカーの値の経時的な上昇を抑制するとともに、プラセボ (偽薬) を投与された患者さんも OBP-601 に切り替えた後にバイオマーカー値が低下しました。これは、OBP-601 投与が神経変性を抑制することを示しています。上述の“外れ値”を除いてみると、NfL 値の変化の大きさは、OBP-601 の投与量に依存していることも示唆されました。更に、OBP-601 を 400mg で全試験期間中投与された患者さんでは臨床症状の進行度合いが緩和され、48 週間という短期間の試験にも関わらず臨床効果を示唆する傾向も得られました。

今回の PSP 試験は統計学的なエビデンスを得るのが難しい条件下で行われたものの、バイオマーカー並びに臨床症状に有効性を示唆する傾向が認められたと、当社、Transposon 社ともに考えており、今後規制当局との議論を踏まえて、次の臨床試験で有効性が検証されることを期待しています。

2. 免責事項

- ・業務上の守秘義務やインサイダー情報管理の観点から、お問い合わせいただく全てのご質問に回答することは難しく、よくいただくお問い合わせを抜粋の上、本資料にまとめています。
- ・回答内容につきましては、ご質問をいただきました時点での当社の状況及び予測に基づいており、将来にわたって正確性が約束されたものではないことについてご理解賜りますよう宜しくお願いいたします。
- ・医薬品 (開発中のものも含む) に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

3. その他

当社は、HP に「IR お問い合わせ」ページを設置しています。ご意見・ご不明点等につきまして、以下のリンク先、若しくは QR コードからお問い合わせをお願いします。

<https://www.oncolys.com/jp/inquiry.html>



以上