2020年８月11日

会　社　名　オンコリスバイオファーマ株式会社
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　取締役管理担当　吉村　圭司
（TEL.03-5472-1578）

# ＜マザーズ＞投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

○　開催状況

開催日時　2020年８月７日　17：15～18：15

開催方法　対面による実開催

開催場所　日本証券アナリスト協会　第1セミナールーム
東京都中央区日本橋茅場町2-6-1　日経茅場町別館B1Ｆ

説明会資料名　2020年12月期中間決算説明会

【添付資料】
１．決算説明会において使用した資料

＊この書面（添付資料を含む。）は、有価証券上場規程施行規則第４２７条に基づき、公衆縦覧に供されます。

# 2020年12月期
# 中間決算説明会

**オンコリスバイオファーマ株式会社**

2020年８月7日

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc.  All rights reserved.

# 免責事項

資料中の将来に係わる一切の記述内容は、現時点で入手可能な情報に基づく当社の判断によるものですが、既知・未知のリスクや不確実な要素が含まれています。さまざまな要因の変化により、実際の結果は、これら記述内容と大きく異る可能性があることをご承知おきください。

リスクや不確実性には、経済情勢の悪化、為替レートの変動、法律・行政制度の変化、新製品の開発中止や上市の遅延、競合会社の価格・製品戦略による圧力、当社既存及び新製品の販売力の低下、生産中断、当社の知的所有権に対する侵害、重大な訴訟における不当な判決等がありますが、これらに限定されるものではありません。

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、その内容は宣伝広告、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。

なお、大株主や取引先、並びに臨床現場やアカデミアへの投資目的のお問い合わせは、ご遠慮ください。

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# 1. 2020年12月期上半期トピックス



2. テロメライシン
3. 次世代テロメライシンOBP-702
4. COVID-19治療薬OBP-2001
5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601
6. テロメスキャン

Oncolys BioPharma

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# 2020年12月期上半期業績

単位：百万円（百万円未満切捨て）

| | 売上高 | 営業利益 | 経常利益 | 当期純利益 |
|---|---|---|---|---|
| **2020年1月～6月** | **136** | **△660** | **△662** | **△664** |
| 2019年1月～6月 | 621 | △275 | △271 | △273 |
| 前年差異 | *△485* | *△385* | *△391* | *△391* |
| （参考）2018年1月～6月 | 90 | △643 | △639 | △641 |

1. OBP-601の新規ライセンス契約による契約一時金収入
2. Medigen社からのテロメライシンの開発協力金収入
3. OBP-702に関する岡山大学からの業務請負収入

**研究開発費等※ 420百万円**（2019年１月～６月：340百万円）
**現預金 2,607百万円**

※研究開発費＋役務原価

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# Oncolys Group



*Frank Tufaro, Ph.D.*
*OPA Therapeutics Inc.*社長

DNAtrix社



浦田 泰生
オンコリスバイオファーマ 代表取締役社長
Oncolys USA 取締役会議長
OPA Therapeutics 取締役会議長



*Talia Biran, M.Sc*
*Oncolys USA Inc.*社長

Janssen社　MERCK社



神戸リサーチラボ



UNLEASH社

LIQUID社

PRECISION社

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc.  All rights reserved.

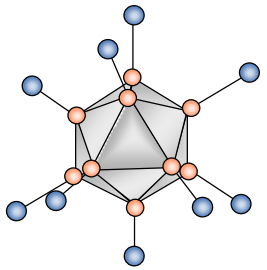
# オンコリスの創薬ターゲット

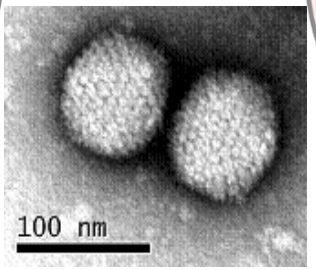
## がん

テロメライシン（食道がん）

OBP-702（膵臓がん等）

テロメスキャン（がん検査）






## 重症感染症

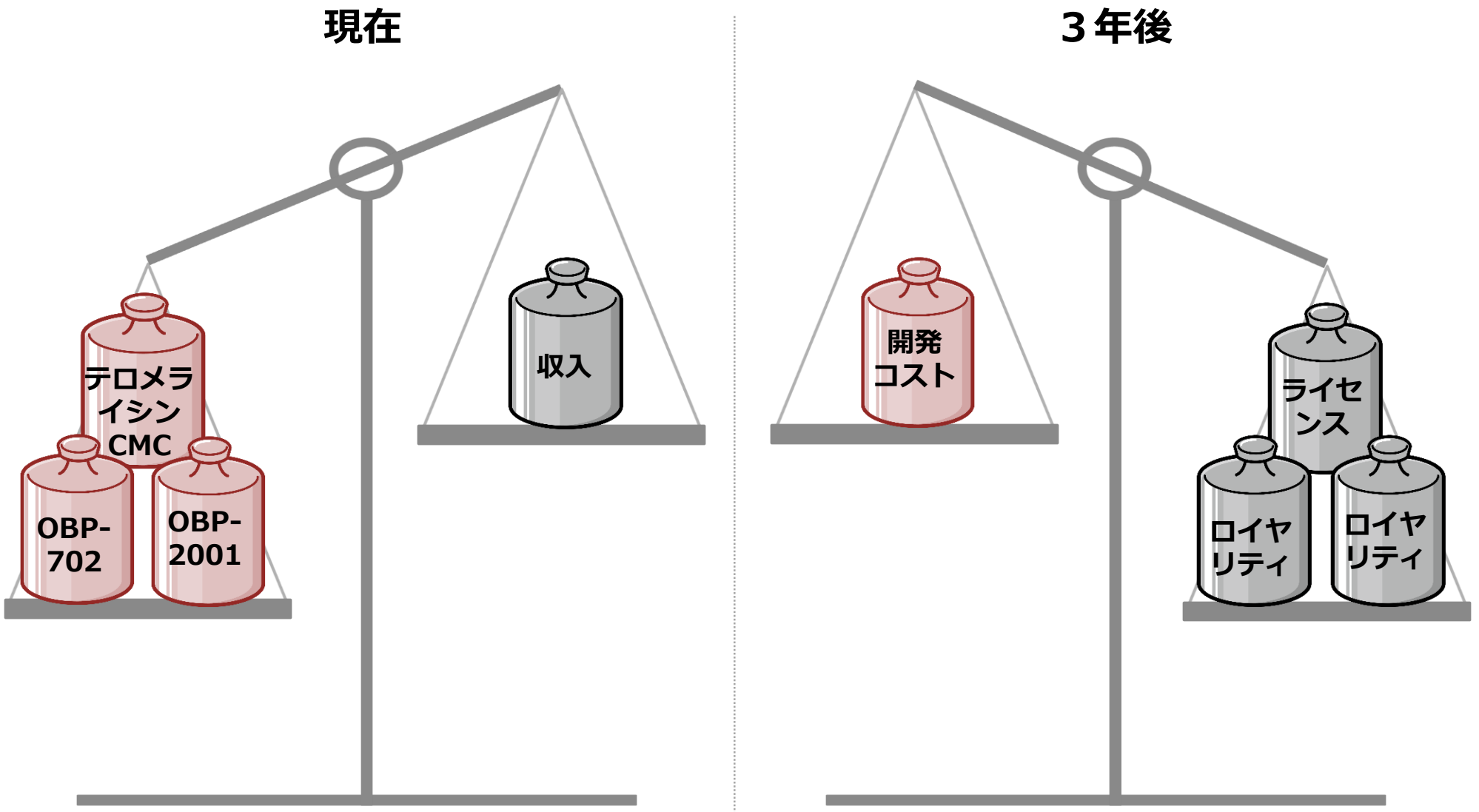
OBP-601（HIV）

OBP-2001（COVID-19）

神経変性疾患
（ALS等）
OBP-601

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# テロメライシンの上市に向けた先行投資




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

1. 2020年12月期上半期トピックス

# 2. テロメライシン

3. 次世代テロメライシンOBP-702
4. COVID-19治療薬OBP-2001
5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601
6. テロメスキャン

**“がんを切らずに治す”**

Oncolys BioPharma

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# テロメライシンのアチーブメント

Telomelysin®

**オーファンドラッグ指定** FDA

1. 7年間の先発権
2. FDAの助言･相談
3. 米政府から補助金

⇒ **海外臨床試験を推進**

**食道がん** 中外製薬

1. 放射線併用Phase２

   ⇒ **2022年に承認申請予定**※1

2. 2019年４月：先駆け指定
3. 放射線化学療法（CRT）併用へ拡大※2

ハンルイ社と中国ライセンス解消

1. 計画から２年以上遅延
2. 有効性, 安全性, 製造に疑義なし

⇒ **新たな契約先を探索中**

Oncolys BioPharma

1. 食道がんCRT併用Phase１ NRG

   ⇒ **米国の食道がん標準治療に上乗せ**

2. 肝細胞がん：Phase１完了

   ⇒ **中外製薬と協議の上で方針決定**

3. 胃がんPhase２ Cornell大学
4. 頭頸部がんPhase２ Cornell大学 Johns Hopkins大学

※1出所：2020年7月27日中外製薬IR資料「中期経営計画“IBI 21” の達成に向けて」 ※2出所：JAPIC 臨床試験情報

Oncolys BioPharma JPX 東証マザーズ上場
Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# テロメライシンの開発状況




| 対象 | 併用療法 | Phase 1 | Phase 2 | |
|---|---|---|---|---|
| 食道がん | 放射線 | | 中外製薬※1 | 2022年 承認申請予定 |
| 食道がん | 放射線 化学療法（CRT） | 中外製薬※2 | | |
| 食道がん | 放射線 化学療法（CRT） | | | |
| 食道がん | PD-1 | | | |
| 胃がん | PD-1 | | | |
| 肝細胞がん | | | | |
| 肝細胞がん | 検討中 | | ※3 | |
| 頭頸部がん | 放射線 PD-1 | | | |

出所※1：2020年7月27日中外製薬IR資料「中期経営計画“IBI 21” の達成に向けて」、※2：JAPIC 臨床試験情報を基に当社作成

※3：今後の肝細胞がんに対する開発は、中外製薬と協議の上で決定する。

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

1. 2020年12月期上半期トピックス
2. テロメライシン

# 3. 次世代テロメライシンOBP-702

4. COVID-19治療薬OBP-2001
5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601
6. テロメスキャン



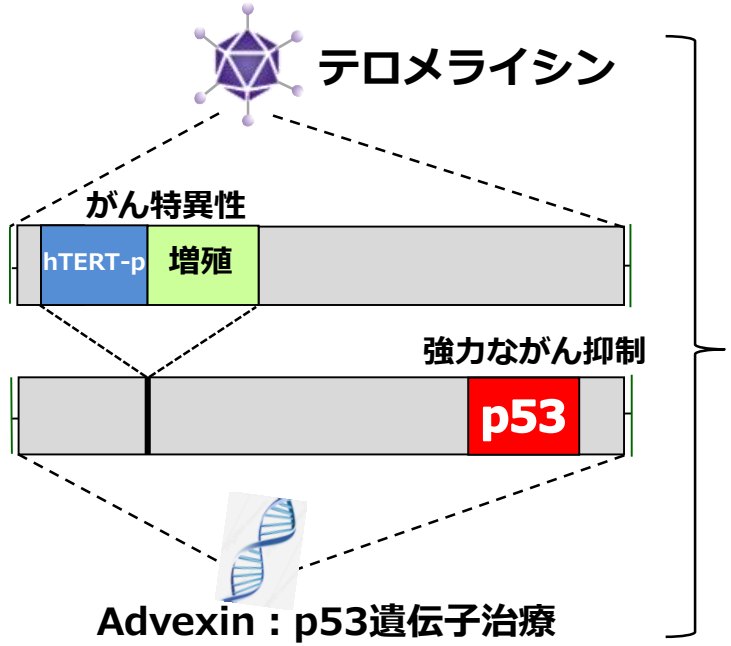
Oncolys BioPharma

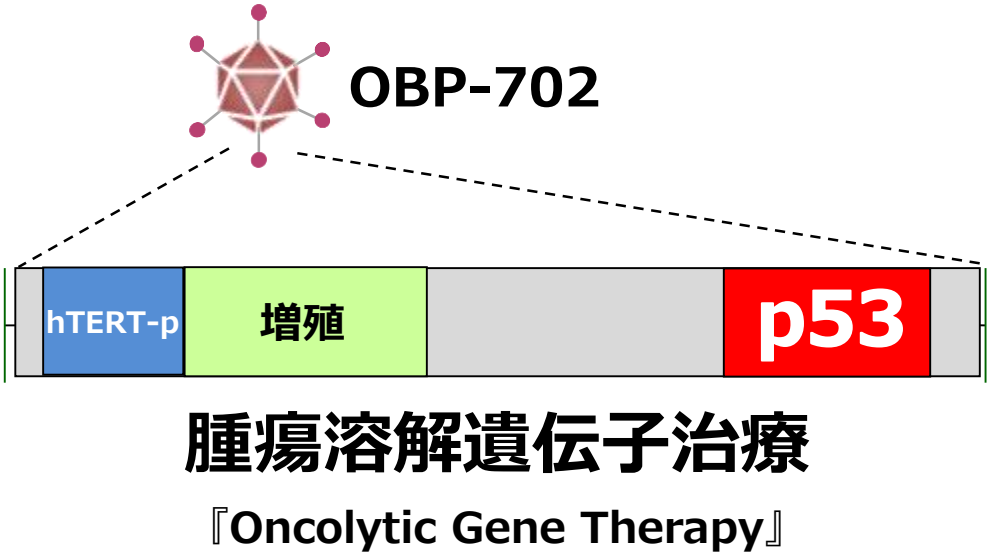
Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# OBP-702のコンセプト

## 『がん個別化医療』への応用

1. がん患者の30～40%で p53遺伝子に変異・欠損が認められている
2. p53変異・欠損のがん患者への分子標的ウイルス療法
3. テロメライシンの10～30倍の活性を示す

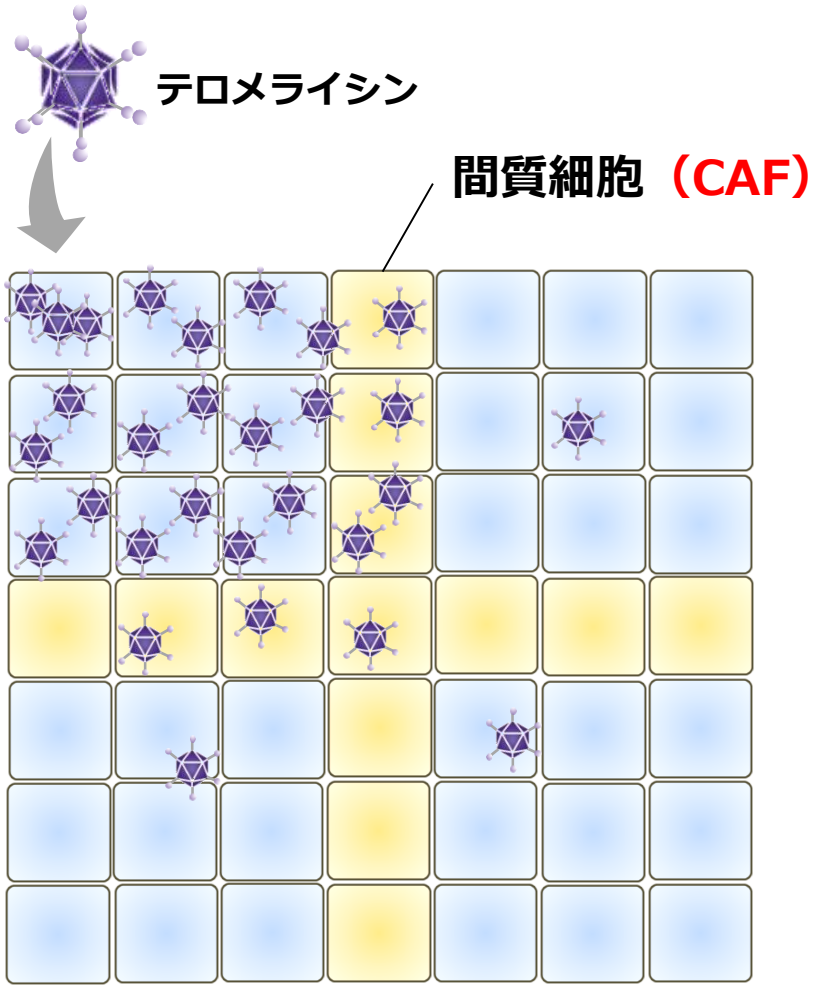


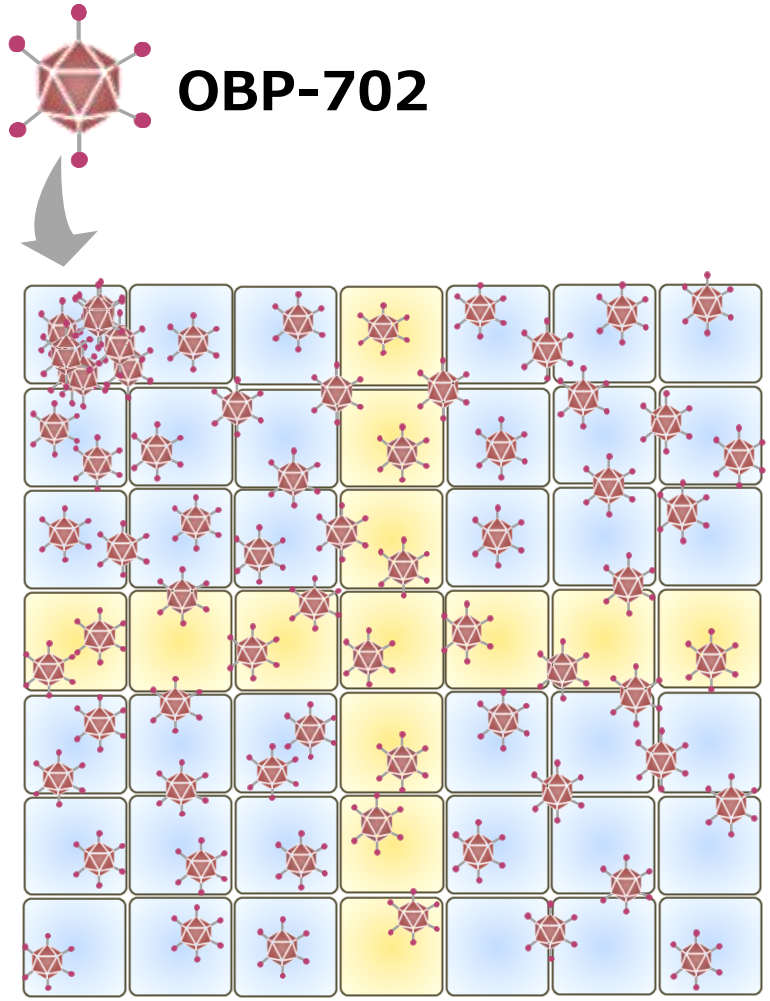




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# OBP-702の特徴

## 間質細胞：CAF（Cancer Associated Fibroblast）を破壊する




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

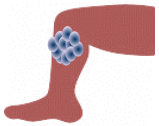
# OBP-702の開発（1）

OBP-702

**開発方針**

1. アンメットメディカルニーズ
2. テロメライシンで不達成／不応がん
3. P53遺伝子欠損・変異がん


膵臓がん

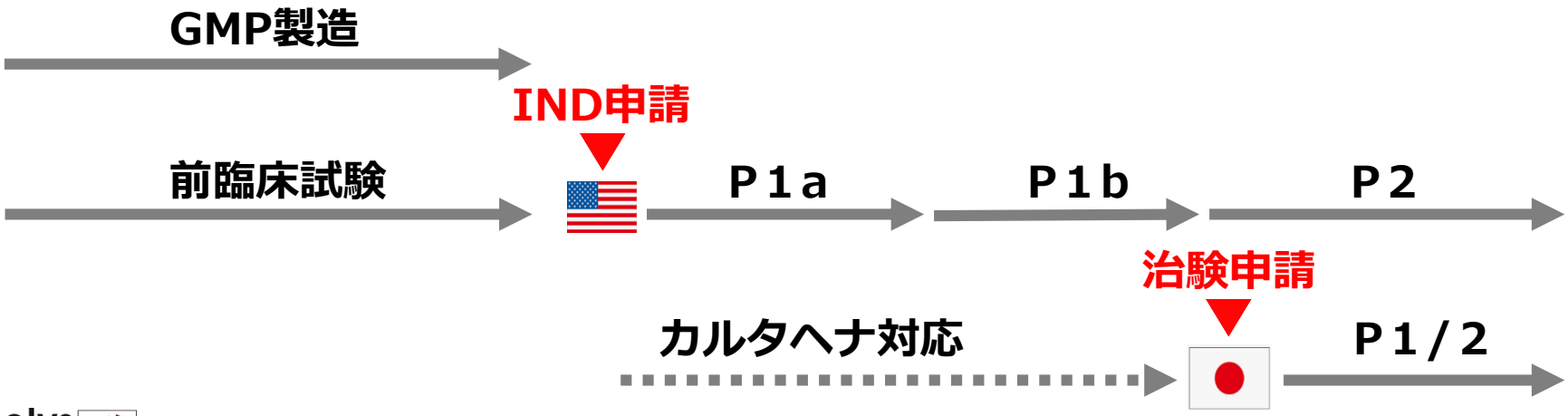

骨肉腫


直腸がん


乳がん など

**アチーブメント**

1. 当社神戸リサーチラボでResearch Virus Bank(RVB)の製造が完了した。
2. 単回毒性試験が開始された。

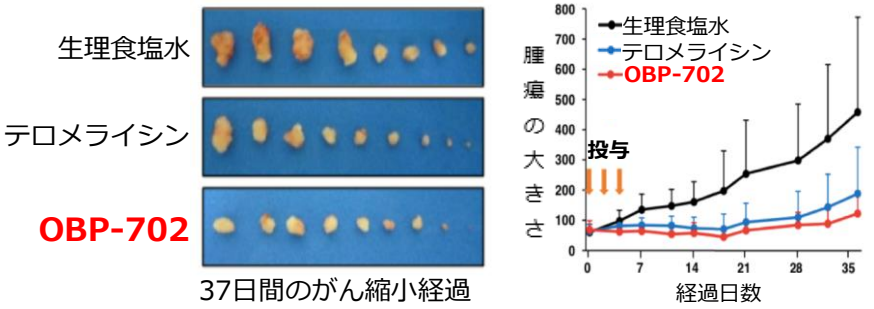



Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# OBP-702の開発（2）

## 膵臓がん

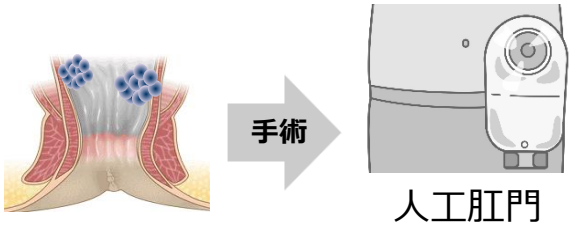
1. 早期発見が困難かつ予後が悪い
2. 対象：局所再発／進行性膵臓がん
3. 標準治療（化学療法）との併用
4. 患者の生命予後を延長




※出所: https://doi.org/10.1016/j.omto.2020.03.016を基に当社作成

## 直腸がん

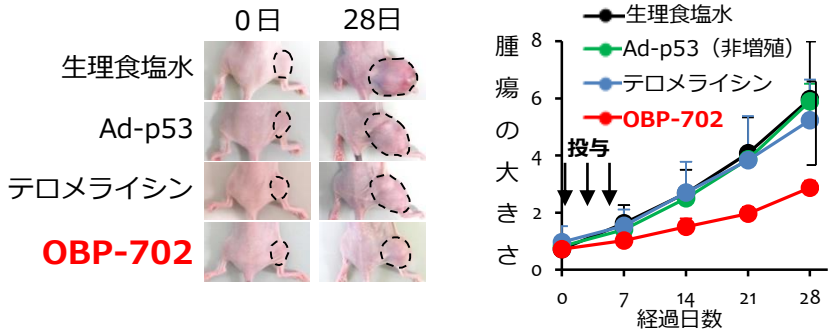
1. 術後のQOLが低い（人工肛門）
2. 対象：局所再発／進行性直腸がん
3. 標準治療（CRT）への上乗せを検討
4. 人工肛門設置患者数の減少




**QOLが著しく低下**

## 骨肉腫/軟部肉腫

1. 若年層に好発、標準治療は手術
2. 対象：局所進行性の骨軟部肉腫
3. オーファンドラッグ対象
4. 放射線＋PD-(L)1との併用を検討




※出所: *Mol Cancer Ther* 2013;12:314-325を基に当社作成

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# 前臨床試験結果の論文

OBP-702

European Journal of Cancer (2012) 48, 2282–2291

## A novel apoptotic mechanism of genetically engineered adenovirus-mediated tumour-specific p53 overexpression through E1A-dependent p21 and MDM2 suppression




Yasumoto Yamasaki[a], Hiroshi Tazawa[a,b], Yuuri Hashimoto[a], Toru
Shinji Kuroda[a], Shuya Yano[a], Ryosuke Yoshida[a], Futoshi Uno[a], Hir
Akira Ohtsuru[d], Yasuo Urata[e], Shunsuke Kagawa[a], Toshiyoshi Fuji

*Cancer Therapeutics Insights*

Molecular Cancer Therapeutics

## Dual Programmed Cell Death Pathways Induced by p53 Transactivation Overcome Resistance to Oncolytic Adenovirus in Human Osteosarcoma Cells

Joe Hasei[1], Tsuyoshi Sasaki[1], Hiroshi Tazawa[2,4], Shuhei Osaki[1], Yasuaki Yamakawa[1], Toshiyuki Kunisada[1,3],
ashimoto[2], Teppei Onishi[2], Futoshi Uno[2], Shunsuke Kagawa[2], Yasuo Urata[5],
Toshiyoshi Fujiwara[2]

Molecular Therapy
**Oncolytics**
Original Article

## Elimination of MYCN-Amplified Neuroblastoma Cells by Telomerase-Targeted Oncolytic Virus via MYCN Suppression

Terutaka Tanimoto,[1,2] Hiroshi Tazawa,[1,3] Takeshi Ieda,[1] Hiroshi Nouso,[2] Morimichi Tani,[2] Takanori Oya
Yasuo Urata,[5] Shunsuke Kagawa,[1,4] Takuo Noda,[2] and Toshiyoshi Fujiwara[1]

Molecular Therapy
**Oncolytics**
Original Article

## Oncolytic Virus-Mediated Targeting of the ERK Signaling Pathway Inhibits Invasive Propensity in Human Pancreatic Cancer

Takeshi Koujima,[1] Hiroshi Tazawa,[1,2] Takeshi Ieda,[1] Hiroyuki Araki,[1] Takuro Fushimi,[1] Ryohei Shoji,[1]
Shinji Kuroda,[1,2] Satoru Kikuchi,[1,3] Ryuichi Yoshida,[1] Yuzo Umeda,[1] Fuminori Teraishi,[1] Yasuo Urata,[4]
Hiroyuki Mizuguchi,[5] and Toshiyoshi Fujiwara[1]

※出所: *HP*公開情報を基に当社作成

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

1. 2020年12月期上半期トピックス
2. テロメライシン
3. 次世代テロメライシンOBP-702

# 4.COVID-19治療薬OBP-2001

5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601
6. テロメスキャン

Oncolys BioPharma

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# COVID-19治療薬の開発

## 契約の概要

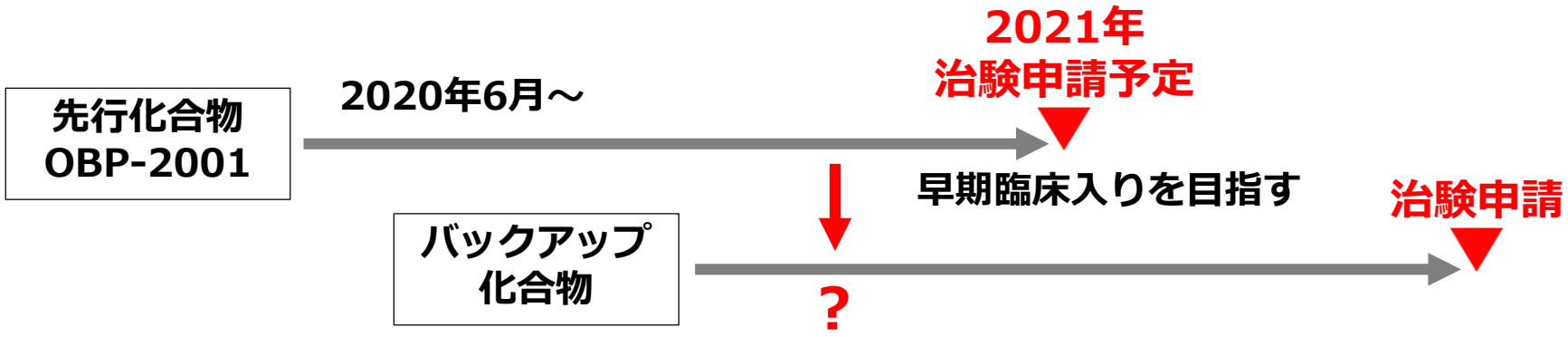
1. 鹿児島大学との共同研究からSARS-CoV-2に特異的な候補化合物が複数特定された。
2. レムデシビルと同等またはそれ以上の活性が確認された。

## 開発の状況

1. **OBP-2001を特定**

   ⇒ 大量製造法の検討, 毒性試験実施中, メカニズム解析

2. AMED助成金を活用予定
3. スピード重視の開発




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# COVID-19に対する世界の開発状況

**既存治療薬の適応追加**

| 種類 | 候補品（承認年月） | 開発企業 |
|---|---|---|
| **エボラ出血熱治療薬** | **レムデシビル（2020年5月）** | **Gilead** |
| **抗ステロイド薬** | **デキサメタゾン（2020年7月）** | **日本化学 / 日医工 / 富士製薬工業** |
| 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 |
| | ゾフルーザ | 塩野義製薬 |
| 抗HIV 薬 | ネルフィナビル | Roche |
| | カレトラ | Abbvie |
| その他 | 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 |

**ワクチン**

| 種類 | 開発品名 | 開発企業 | Phase | 地域 |
|---|---|---|---|---|
| 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 |

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

※出所：HPほか公開情報を基に当社作成

# COVID-19の治療薬／開発品の特徴

| | 予防 | **軽症～中等症** | 中等症～重症 | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|
| 種類 | ワクチン | **SARS-CoV-2阻害剤** | | 抗体・血液療法 | 自己免疫抑制剤 | 抗血栓薬 |
| 開発状況 | 100種類以上 | •**OBP-2001** Oncolys BioPharma<br>•**MK-4482 (Merck)**<br>•**塩野義製薬化合物** | レムデシビル（Gilead） | 30種類以上 | ・デキサメタゾン<br>・IL-6阻害剤<br>・JAK阻害剤 | ・ヘパリン<br>・抗血栓剤 |
| 作用 | 感染予防 | **ウイルス増殖を阻害** | | 感染抑制 | サイトカインストームの抑制 | 肺血栓の抑制 |
| 課題 | ・3カ月で抗体消失<br>・効果100%ではない | **経口投与** | 点滴投与 | ・高コスト<br>・低い汎用性 | 強い副作用 | 出血リスク |

※出所：HPほか公開情報を基に当社作成

**手術前治療**

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# OBP-2001の開発方針

1. SARS-CoV-2に対して**特異的に阻害**する。
2. **経口投与**が可能な製剤を目指す。
3. レムデシビルと作用点が異なっていると考えられるため、**併用による治療効果**の向上を目指す。
4. PMDAのRS戦略相談を活用し、**スピード重視**の開発を行う。
5. **商業用生産**を前提としたCMOとの提携を行う。

**“人類の正常で健全な医療と経済活動に貢献したい”**

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

1. 2020年12月期上半期トピックス
2. テロメライシン
3. 次世代テロメライシンOBP-702
4. COVID-19治療薬OBP-2001

# 5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601

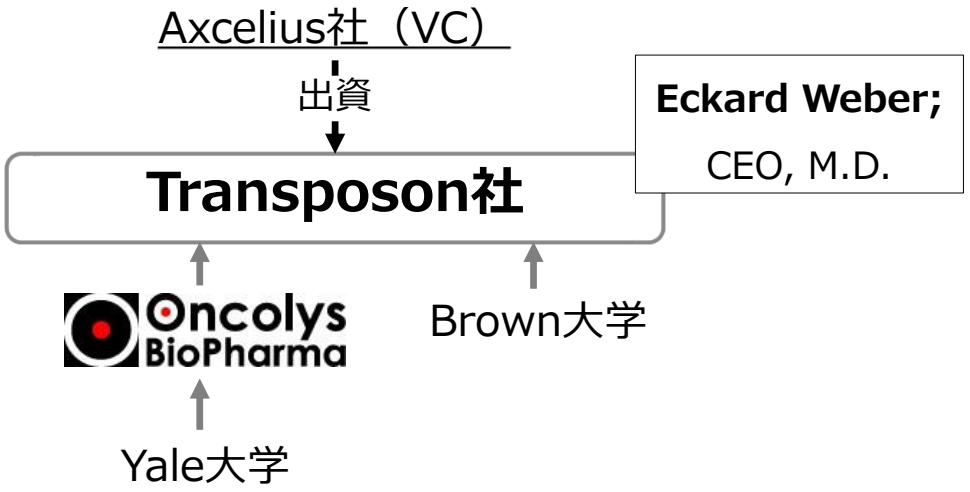
6. テロメスキャン

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# OBP-601：新規ライセンス契約締結

## Transposon社と総額3億ドル以上の契約締結

1. 主に神経変性疾患の治療薬として開発する
2. 追加の前臨床試験がほぼ不要（がん原性試験が完了済）
3. 2022年までに臨床入りを目指す




トラックレコード
1. IPO　Syndax 時価総額：$552M（約600億円）
2. M&A
   - Peninsula Pharma（J&Jへ売却）
   - Cerexa（Forest Laboratoriesへ売却
   - NovaCardia（Merckへ売却）
   - Calixa（Cubist Pharmaceuticalsへ売却）
   - Ocera（Mallinckrodtへ売却）

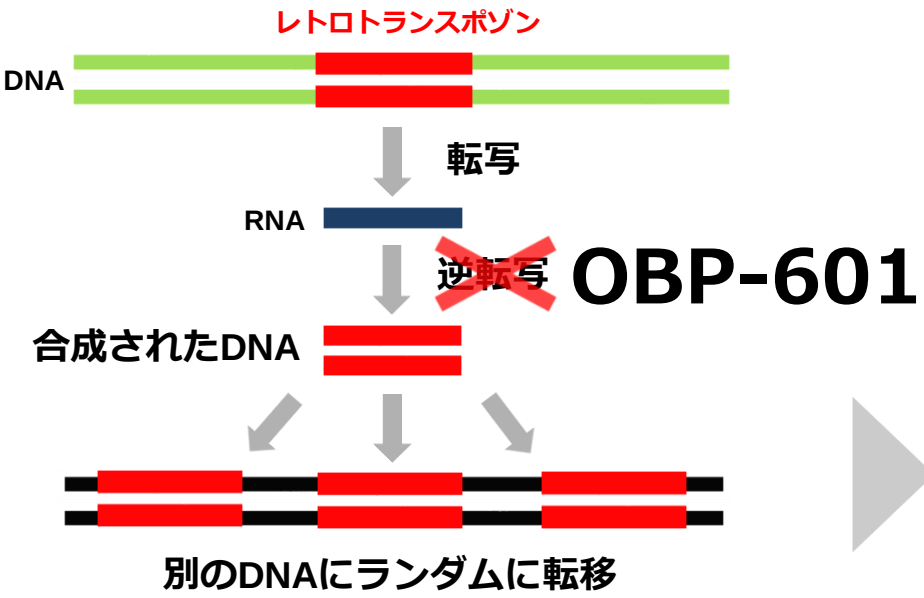
DOMAIN社
1. 1985年設立のベンチャーキャピタル
2. 累計投資先260社
3. 累計$2.8b(約3,000億円)の組成

※出所：*HP*ほか公開情報を基に当社作成

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc.  All rights reserved.

# レトロトランスポゾンとは

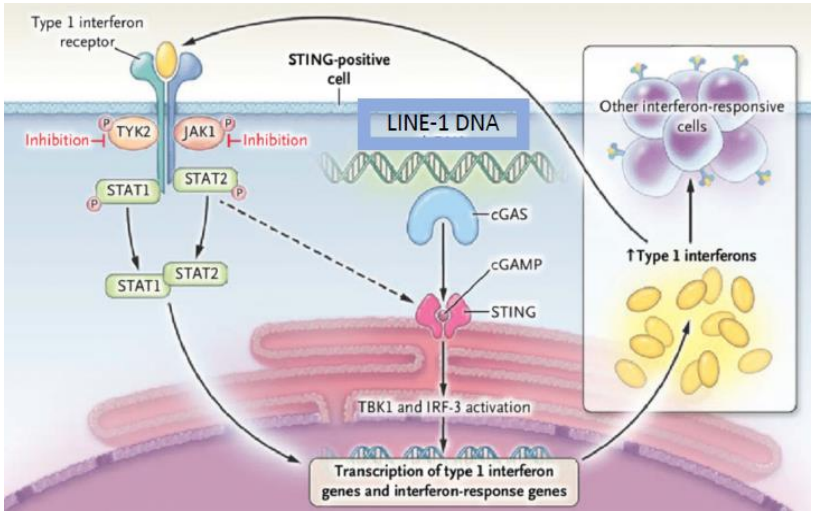
## レトロトランスポゾン＝RNA型トランスポゾン







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




※出所：*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：*HP*ほか公開情報を基に当社作成

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# ALS治療薬の開発状況

| 作用機序 | 開発企業 | 開発品 | Phase | 薬価（円） | 売上（億円） |
|---|---|---|---|---|---|
| **Naチャネル阻害他** | **Sanofi** | **Riluzole** | **承認済** | **1,417** | **180** |
| **抗酸化剤** | **田辺三菱製薬** | **Edaravon** | **承認済** | **3,818** | **230** |
| **抗HIV薬（NRTI/インテグラーゼ阻害）** | **Neuroscience Trials Australia / ViiV** | **Triumeq（DTG+ABC+3TC）** | **P2a** | **—** | **—** |
| SOD1アンチセンス | Biogen / Ionis | IONIS-SOD1Rx / BⅡB067 | P3 | — | — |
| チロシンキナーゼ阻害 | AB Science | AB1010 / 欧：Masipro | P3 | — | — |
| Caイオン感受性増加 | Orion | ODM-109 | P3 | — | — |
| 細胞医薬 | BrainStorm | 米：Nur Own | P2/3 | — | — |
| 酸化ストレス除去 | Edison / 大日本住友製薬 | EPI-589 | P2 | — | — |
| AMPA受容体活性化 | 東京医科大学病院 | E2007 / 日：フィコンバ | P2 | — | — |
| ロイコトリエン受容体拮抗 | MediciNova | KCA-757 / MN-166 / AV-411 / KC-404 | P2a | — | — |
| タンパク質複合体トロポニンの活性化 | アステラス / Cytokinetics | reldesemtiv | P2 | — | — |
| 神経細胞調整 | Roche | RG6000 / GDC-0134 | P1 | — | — |

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

※出所：HPほか公開情報を基に当社作成

1. 2020年12月期上半期トピックス
2. テロメライシン
3. 次世代テロメライシンOBP-702
4. COVID-19治療薬OBP-2001
5. 核酸系逆転写酵素阻害剤OBP-601

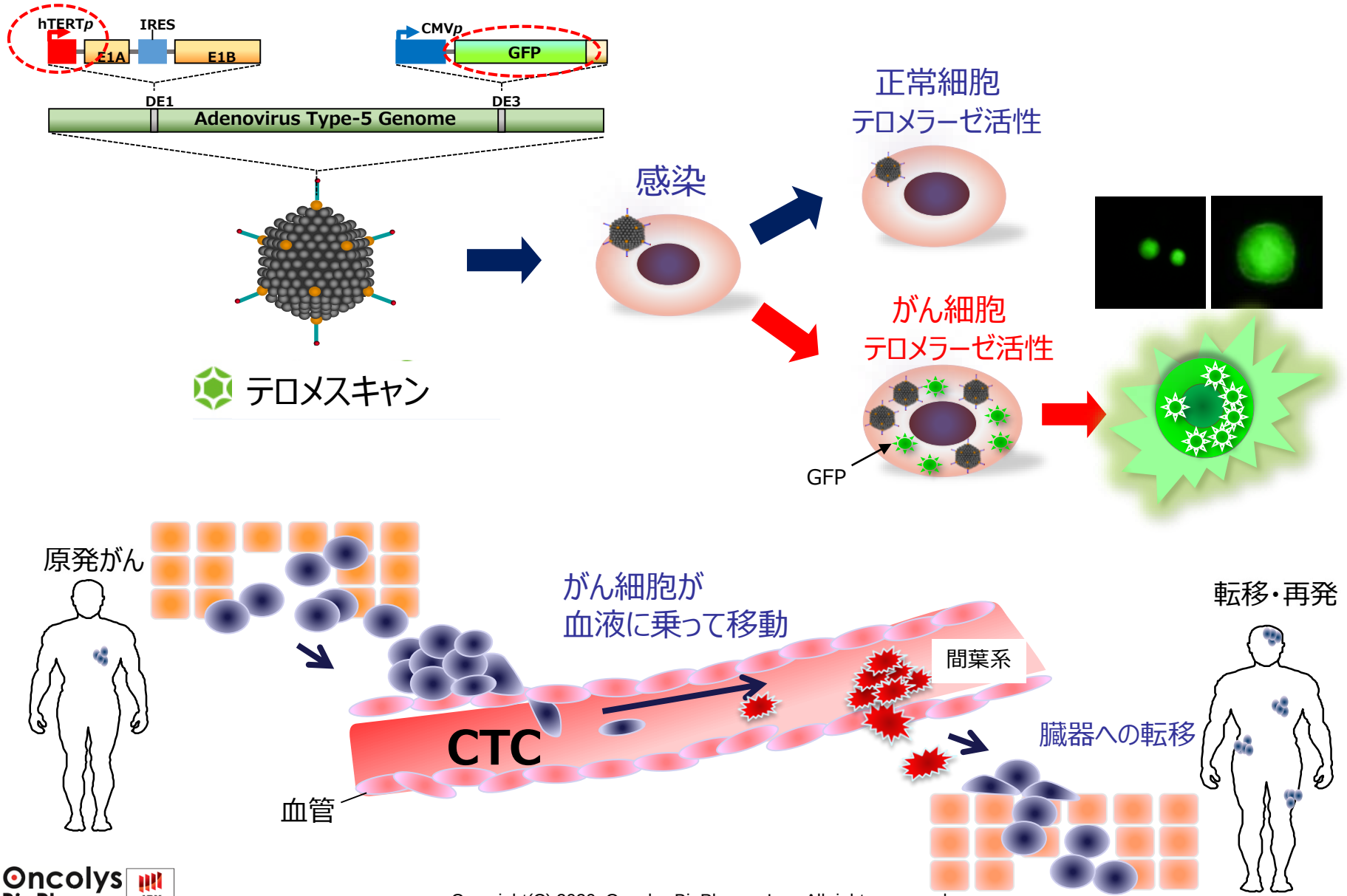
# 6. テロメスキャン

## “がん治療の選択肢を広げる”

Oncolys BioPharma

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

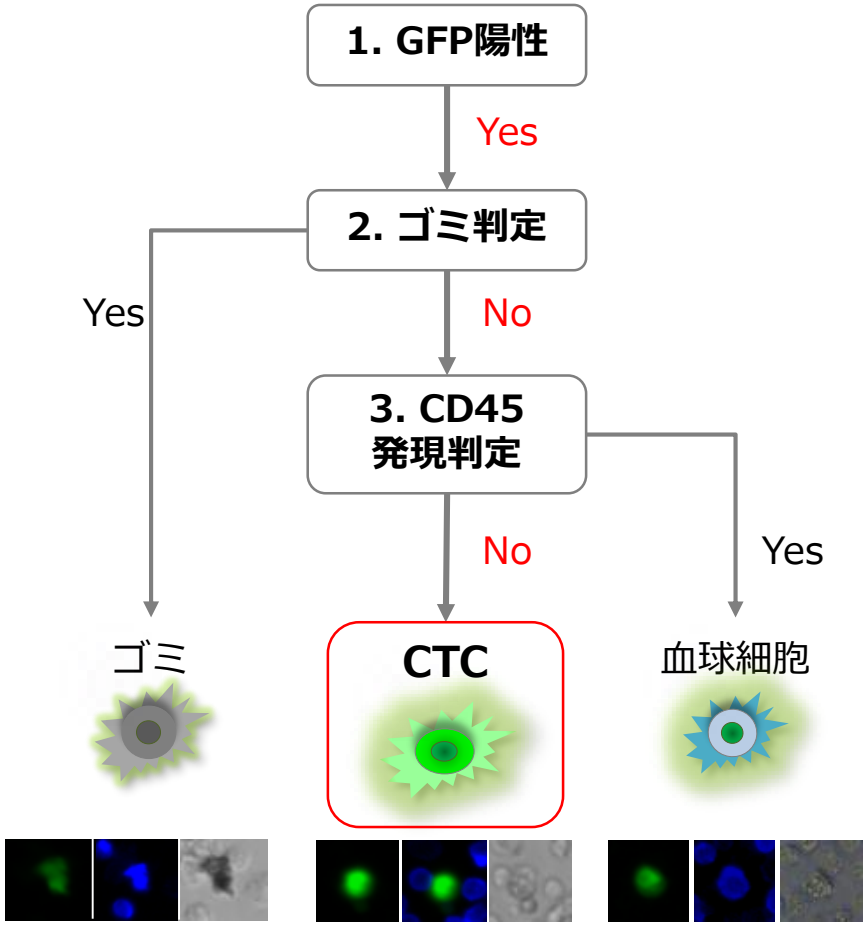
# テロメスキャンとは




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.

# CTC自動解析用ソフトウェアの開発

CYBO社 アルゴリズムによる自動化




**AIによる判定の標準化**

**目視との一致率：90%以上**

**自動化によるスループット向上**

**3,000検体/年（理論値）**

**テロメスキャンPlatformの確立**

Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc. All rights reserved.




Copyright(C) 2020, Oncolys BioPharma Inc.  All rights reserved.