2024年５月31日

各　位

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　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】
2024 年５月 22 日のプレスリリースで、Transposon 社の会長兼最高経営責任者である Dennis Podlesak 氏より OBP-601 のアルツハイマー病への開発について言及されています。この適応で、OBP-601（TPN-101）にどのような期待が寄せられていると考えますか？

当社が 2024 年５月 22 日に開示した Fast Track 指定に関する内容について、Transposon 社からもプレスリリースが開示されていますのでご確認ください。

OBP-601 は、既に 2024 年 2 月 14 日のプレスリリースでご報告しているとおり、現在臨床試験が進められている C9orf72 関連の FTD はアルツハイマー病と同様の中枢神経系の病理所見を示すことが知られています。そして、本臨床試験の中間解析結果では、アルツハイマー病への応用を示唆する脳脊髄液中のタウタンパクが減少するなどのバイオマーカー変化が得られたことから同病への応用が推察されています。

現在、Transposon 社はアルツハイマー病適応の臨床試験を計画していますが、マーケットに上市されている治療薬と比較した OBP-601 に期待されるポイントを以下に列挙します。

アルツハイマー病治療薬

※ 2024年4月末時点

製品名／一般名	企業名	開発段階	作用機序	主な副作用	投与方法
アデュヘルム ／アデュカヌマブ	Biogen／エーザイ	上市	抗アミロイドβ抗体	ARIA (※1) 等	静脈注射（1wに1回）
ドナネマブ	Eli Lilly	申請	抗アミロイドβ抗体	ARIA (※1) 等	静脈注射（4wに1回）
レケンビ ／レカネマブ	エーザイ／Biogen	上市	抗アミロイドβ プロトフィブリル抗体	ARIA (※1) 等	静脈注射（2wに1回）
E2814	エーザイ	Phase2/3	抗タウ抗体	－	静脈注射
アリセプト ／ドネペジル	エーザイ	上市	AChE (※2) 阻害薬	下痢、吐き気等	1日1回　経口投与
レミニール ／ガランタミン	ヤンセンファーマ	上市	AChE (※2) 阻害薬	下痢、吐き気等	1日2回　経口投与
イクセロンパッチ・リバスタッチ／リバスチグミン	ノバルティスファーマ 小野薬品工業	上市	AChE (※2) 阻害薬	下痢、吐き気等	1日1回　貼付
OBP-601 (censavudine)	Transposon Therapeutics	計画中	LINE-1阻害薬	脂肪蓄積 総コレステロール増加	1日1回　経口投与

※1　アミロイド関連画像異常（脳出血・脳浮腫等）　※2　アセチルコリンエステラーゼ

① 既存のアルツハイマー病治療薬にない新しい作用機序

表に記載のとおり、OBP-601 は LINE-1 阻害という作用機序を有しており、新たなアプローチによる治療効果が期待されます。また現在、エーザイ株式会社により、抗アミロイドβプロトフィブリル抗体のレカネマブと抗タウ抗体の E2814 を併用した臨床試験（DIAN-TU-001）が実施されています。このように、異なる作用機序を組み合わせたアルツハイマー病の併用治療が増えていく場合、全く新しい作用機序である OBP-601 はその組み合わせ対象として魅力的な薬剤となる可能性があります。

② 高い忍容性

神経難病に対する治療は非常に長期間に及ぶことが想定されており、対象患者への安全性が重要視されています。OBP-601 は、これまでの HIV 感染症の臨床試験も含め、年単位での投与における高い忍容性が確認されています。また、承認申請に向けての長期毒性試験やがん原性試験も終えており、長期間投与に対する安全性も示唆されています。

③ 簡便な投与経路

OBP-601 は静脈注射ではなく１日１回の経口投与で臨床試験を進めています。現在、上市されている疾患修飾薬※1の投与経路は、その多くが静脈注射であり、患者さまは定期的な通院を余儀なくされます。このような観点から OBP-601 のように簡便な投与が可能であることは差別化されるポイントとなる可能性があります。

※１　疾患修飾薬
発症と深く関連する物質に直接作用することにより疾患の発症や進行を制御する薬剤

以上のように、OBP-601 が仮に将来のアルツハイマー病治療薬として上市される場合、マーケットにおいて他の薬剤と異なるポジションで、ひと際目立つ存在となり、多くの関係者から期待を頂けるものと考えています。

【ご質問②】
OBP-601 における ALS/FTD の 48 週最終解析データはいつ頃公開されるでしょうか？

ALS/FTD の 48 週最終解析データについては 2024 年中に公表する計画です。当社は、Transposon 社の意向を考慮して開示を行う方針です。

なお、PSP については、中間解析データの開示は 2023 年 11 月 15 日、最終解析データは 2024 年２月 14 日に開示しており、ALS の中間解析データについては、2024 年２月 14 日に開示しています。

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、よくいただくご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、ホームページに「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