

オンコリスバイオフーマ株式会社

(4588 Growth)

発行日 2026 年 4 月 7 日

テロメライシン 「通常承認」による薬価を期待

テロメライシン® 「通常承認」の可能性

オンコリスバイオフーマの主力開発品(OBP-301)は、テロメライシン®という遺伝子を改変した腫瘍溶解ウイルスである。オンコリスバイオフーマ独力での製品化に向けて、国内においては食道がんに絞って、臨床開発を推進し、2025年12月に承認申請に至った。今後、順調にいけば、2026年5月部会での審議と答申、6月承認取得、8月薬価収載・上市が実現する。次の注目点は、他の再生医療等製品のように「期限及び条件付き承認」となるのか、「通常承認」となるかである。OBP-301の場合、「期限及び条件付き承認」となって、市販後臨床試験を行うこととなった場合、承認申請に用いた Pivotal 試験と同じ規模の試験となり、市販後臨床試験を行う意義が問われるため、「通常承認」となる可能性がある。「通常承認」となることにより、市販後臨床試験が不要になるだけでなく原価計算方式での通常の営業利益率の適応の他、「有用性加算」も加わるため高薬価が期待できる。また、海外の提携候補先も、日本での承認状況を注視している。

承認・上市後の展開にも死角なし

再生医療等製品の場合、上市後の安定供給と販促戦略が、承認に向けての課題となるが、前者に関しては、既に長期の安定性試験を通過した製剤を順次出荷する計画が立案されている。また、販促戦略はオンコリスバイオフーマのメディカル・アフェアーズと販社である富士フィルム富山化学の両社で立案し、販社のMRが販促を担当する体制が整備されているため、オンコリスバイオフーマが販促のために多額の費用をかける必要は無い。将来的には国内 300 施設以上をターゲットとして販促活動が行われる計画である。また、Key Opinion Leader と「食道がん局所療法研究会」を立ち上げ、テロメライシンのブランディング確立に動くなど、効能拡大のための布石を打っている。食道がん以外にも、下部直腸/肛門がんへの効能拡大のための試験が年後半に開始される予定である。さらに、食道がん患者が多く、日本の承認データを利用して承認が獲得できるアジアでの展開を狙い、提携候補先との交渉も始めている。

脳神経変性疾患薬 OBP-601 複数のピボタル試験が開始予定

OBP-601 は選択的スプライシングを制御し LINE-1 の生成を抑制する LINE-1 阻害剤である。2024 年 10-12 月期には、導出先のトランスポゾン社によって、PSP や C9-ALS といった神経変性疾患での Phase2a 試験で有効性/安全性が確認されている。トランスポゾン社では PSP を対象とした Phase3 (Pivotal 試験) のための資金調達を 2026 年上期中に完了させる見込みで、調達完了後、速やかに試験開始の予定である。また、ヒーリー ALS プラットフォームを活用し、C9-ALS 以外の ALS も含んだ ALS 全般を対象とした大規模な Phase2/3 (Pivotal 試験) を 2026 年内に開始する予定である。一方、アルツハイマー病を対象とした Phase2 試験については提携候補先のメガファーマから、高用量での試験も期待されており、デザインの見直し等から、PSP や ALS よりも開始時期は先になりそうだ。PSP と ALS の Pivotal 試験の開始により、トランスポゾン社からオンコリスバイオフーマへのマイルストーンが発生する見込みである。また、これまでの成果やアルツハイマー病への対象拡大で、トランスポゾン社への注目が一層高まっており、CNS 領域を物色している大手製薬会社の M&A やライセンス契約等の対象となることも考えられる。これらのコーポレートアクション発生の場合、オンコリスバイオフーマへ想定外のマイルストーンが発生する可能性があることにも引き続き留意しておきたい。

| 業績動向 | 売上高 百万円 | 前期比 % | 営業利益 百万円 | 前期比 % | 経常利益 百万円 | 前期比 % | 当期純利益 百万円 | 前期比 % | EPS 円 | 年度終値株価 円 | |
|--------------|------------|----------|-------------|----------|-------------|----------|--------------|----------|----------|----------|-----|
| | | | | | | | | | | 高値 | 安値 |
| 2021/12 通期実績 | 642 | 104.5 | -1,454 | NA | -1,500 | NA | -1,615 | NA | -99.5 | 1,880 | 514 |
| 2022/12 通期実績 | 976 | 51.9 | -1,204 | NA | -1,163 | NA | -1,148 | NA | -66.3 | 685 | 474 |
| 2023/12 通期実績 | 63 | -93.5 | -1,929 | NA | -1,913 | NA | -1,938 | NA | -108.9 | 836 | 508 |
| 2024/12 通期実績 | 31 | -50.2 | -1,681 | NA | -1,663 | NA | -1,684 | NA | -77.1 | 905 | 463 |
| 2025/12 通期実績 | 28 | -9.0 | -2,024 | NA | -2,051 | NA | -2,058 | NA | -80.0 | 1,384 | 471 |

フォローアップ・レポート

フェアリサーチ株式会社

鈴木 壯

| 会社概要 | 概要 |
|---------------|-----------------|
| 所在地 | 東京都港区 |
| 代表者 | 浦田 泰生 |
| 設立年月 | 2004年3月 |
| 資本金 | 4,366百万円 |
| 上場日 | 2013年12月 |
| URL | www.oncolys.com |
| 業種 | 医薬品 |
| 従業員数 | 38人(単独) |
| 主要指標 | 2026/4/6 現在 |
| 株価 | 2,317 |
| 52週高値終値 | 3,295 |
| 52週安値終値 | 471 |
| 発行済株式数 | 29,291千株 |
| 売買単位 | 100株 |
| 時価総額 | 67,869百万円 |
| 会社予想配当 | 0円 |
| 予想当期利益ベース EPS | NA円 |
| 予想 PER | NA倍 |
| 実績 BPS | 136.38円 |
| 実績 PBR | 16.99倍 |

(注)EPS、PER、BPS、PBRは自己株式数除く発行済株式数ベース。

会社概要・経営理念

オンコリスバイオフーマ社は、ウイルス学に立脚した技術で、「がんのウイルス療法」と「重症ウイルス感染症」を対象にした『ウイルス創薬』の展開を目指している

腫瘍溶解薬テロメライシンの開発が創業の原点であり主力品

先駆け審査指定の下、2026年半ばの承認獲得を目指している

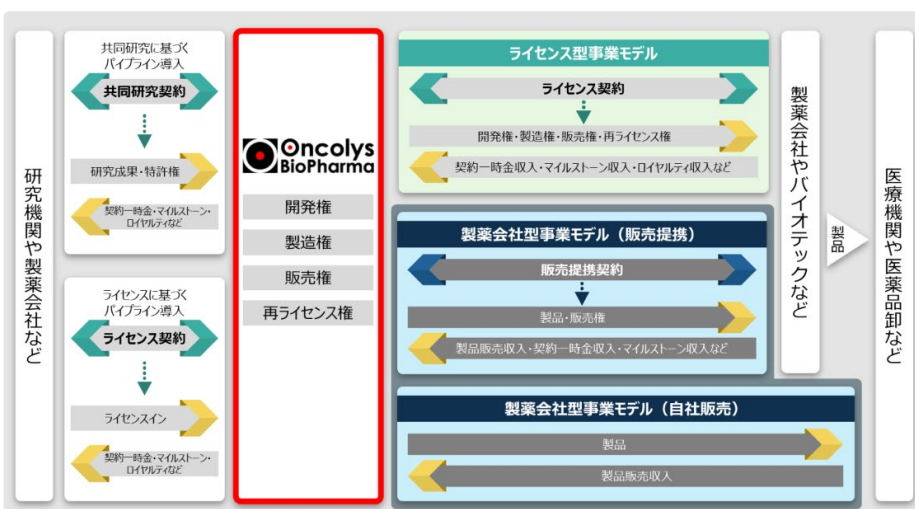
<ビジネスモデル>

オンコリスバイオフーマ株式会社(以下、オンコリスバイオフーマ)は、主に、遺伝子を改変したウイルスを用いて、がん(腫瘍)を溶解するという腫瘍溶解ウイルス薬の研究開発を行っていることで注目されているユニークな創薬企業である。

経営理念は、「ウイルス学に立脚した創薬技術を駆使して、がんや重症感染症の治療法にイノベーションを起こし、世界の医療に貢献したい」というものである。従来は、開発した新薬候補を比較的早期の段階でライセンスアウトし、そのライセンス料や上市後のロイヤリティ収入で収益を獲得するビジネスモデル(ライセンス型事業モデル)となっていたが、現在では、製薬企業として承認まで自社開発し、販売は他社と販売提携する計画のパイプライン(テロメライシン)もあり、ライセンス型事業モデルと製薬会社型事業モデルのハイブリッド型へ、ビジネスモデルも高度化している。

オンコリスバイオフーマで最も事業化が進行しているのは、岡山大学の藤原俊義教授からアイデアを得た、アデノウイルスを基とした腫瘍溶解ウイルス薬のテロメライシン®(OBP-301)である。2019年、切除不能な食道がん対象の放射線併用療法で先駆け審査指定を獲得し、一時、中外製薬へライセンスアウトしたが、2021年ライセンス契約は解消されることとなった。しかし、承認まで自社で開発を推進する製薬会社型事業モデルで開発を進めている。2023年10月16日には、ピボタル試験の結果として、臨床的に意義のあるトップラインデータが公表され、2025年12月に承認申請に至った。また、臨床開発と同時に、社内体制や供給体制の整備を行ってきており、ほぼ完成している。

一方、もともと HIV の薬剤として導入し開発していた OBP-601 は神経変性疾患を対象とした薬剤として、米国トランスポゾン社へ導出し開発が進んでいる。こちらの方は、ライセンス型事業モデルである。



(出所)オンコリスバイオフーマ 会社説明会 2025年8月

主力品は自社開発中のテロメライシン®(OBP-301) その後継候補は OBP-702 OBP-601 は神経変性疾患を対象とした薬剤として米国企業へ導出中

I 主要パイプライン

オンコリスバイオファーマの主要なパイプラインは、固形がんを対象とした腫瘍溶解ウイルスのテロメライシン®(OBP-301)及びその後継品候補(特に OBP-702)である。ウイルス感染症の領域では、前述のウイルス感染症の治療薬候補 OBP-2011(OBP-2001 の後継品)が開発中である。HIV 感染症治療薬の OBP-601(センサブジン)は、現在では感染症ではなく、神経変性疾患を対象とした薬剤候補として米国 Transposon 社(以下、トランスポゾン社)へ導出されている。また、テロメライシン®を応用した検査薬として、がんの早期発見、転移・再発の発見を目的としたテロメスキャンの開発が行われている。

以下では、1.OBP-301(テロメライシン®)、2.OBP-601、3.OBP-702 の現況について概観していきたい。

パイプライン一覧

| 開発品 | 対象疾患 | 開発ステージ | | | 承認申請 | 承認 | |
|----------|-------------------|--------|-------------|-------------|-----------|------------------|---------|
| | | 前臨床 | Phase 1 | Phase 2 | | | Phase 3 |
| OBP-301 | 食道がん | 🇯🇵 | オーファンドラッグ指定 | | | 富士フイルムと東山化学と研光提携 | |
| | 胃がん | 🇺🇸 | オーファンドラッグ指定 | | | | |
| | 肝癌がん | 🇯🇵 | 🇰🇷 | Phase2準備中 | | | |
| | 肛門・下部直腸がん | 🇯🇵 | 🇰🇷 | Phase2準備中 | | | |
| OBP-601 | PSP ^{*1} | 🇺🇸 | ファストトラック指定 | | Phase3準備中 | トランスポゾン社へ導出済み | |
| | ALS ^{*2} | 🇺🇸 | 🇪🇺 | Phase2/3準備中 | | | |
| | アルツハイマー病 | 🇺🇸 | Phase2準備中 | | | | |
| OBP-702 | すい臓がん | 🇯🇵 | Phase1準備中 | | | | |
| OBP-2011 | ウイルス感染症 | 🇯🇵 | | | | | |
| OBP-801 | 眼科領域 | 🇯🇵 | | | | | |
| 開発品 | 対象領域 | 臨床研究 | | 臨床性能試験 | | 承認申請 | 承認 |
| OBP-401 | 各種がん検出 | 🇯🇵 | | | | | |

(出所)オンコリスバイオファーマ社

*1 進行性核上性麻痺 *2 C9-筋萎縮性側索硬化症 *3 C9-前頭側頭型認知症

(注)上図以外に OBP-801 もある。これは、アステラス製薬より 2009 年 10 月に導入した HDAC (ヒストン脱アセチル化酵素) 阻害剤である。HDAC 活性を抑制することによりがん抑制遺伝子の発現を促すエピジェネティックがん治療薬として研究開発を進めてきたが、米国での Phase1 試験で副作用が出たため、がん領域での開発を中断した。一方、2016 年 8 月より、京都府立医科大学と眼科領域での可能性を研究(前臨床段階)されている。緑内障手術による濾過胞形成術後の線維化抑制機能が明らかとなり、2023 年 4 月に学会で研究結果が発表された。点眼剤としての開発が期待されている。また、2024 年 7 月、「緑内障治療後の濾過胞線維化抑制」と「加齢黄斑変性症」に関する用途発明が日本で特許査定を受領している

なお、肝細胞がんを対象とするテロメライシン(OBP-301)の開発は、Phase1で安全性が確認されているが、食道がんや胃がんの開発を優先するため休止中である。

テロメライシン®は、副作用も少なく、食道がんで局所の完全奏効が期待できる

国内で、放射線との併用療法について、先駆け審査指定の下、2025 年 12 月に承認申請を行った

当初は 2024 年承認申請予定だったが、2024 年 12 月に、2025 年申請見込みに変更

1.テロメライシン®(OBP-301)

(1)テロメライシン® 国内承認取得に向けた準備状況

テロメライシン®は、現在、日本国内と米国で臨床試験が行われている。主戦場は、食道がんである。食道がんの部位の特性から手術は侵襲が大きく、これまでの免疫チェックポイント阻害剤、分子標的薬、化学療法では、全身性の奏効はあっても、局所的な完全奏効(L-CR)の達成が困難ながん種である。具体的に言うと、食道がんなどでは「食道のつまり」による嚥下障害が発生しがちであり、免疫チェックポイント阻害剤や化学療法のみでは腫瘍痕が残存し、「食道のつまり」を解消できないが、テロメライシン®を併用することで解決することが出来る。

食道がんを対象とする放射線(RT)併用療法

2025 年 12 月 15 日、オンコリスバイオフーマは、国内にて、食道がんを対象としたテロメライシン®(OBP-301)と放射線の併用療法を、先駆け審査指定の下、承認申請を行った。2026 年1月に先駆け総合評価相談を終了し、申請から承認までの期間を6ヶ月以内とすることを目指す先駆的医薬品指定制度の趣旨から推定すると、現在は、5 月中旬以降に想定される厚生労働省の部会での審議にむけて、PMDA での精査が行われていると考えられる。オンコリスバイオフーマは、PMDA からのさまざまな問い合わせに連日対応しているところである。

A. 2024 年までの経緯

当初、2024 年内に、当局(PMDA)との事前相談のうえ、新薬承認申請を行う予定であった。しかし、2024 年 12 月 19 日、2025 年の上期に「事前相談」から「先駆け総合評価」段階に移行し、およそ半年の審査期間を経た後、申請を行う見通しに変更された(変更の背景に関しては後述の参考参照)。

(注) 先駆け相談は「臨床」・「非臨床」・「品質」・「信頼性」・「GCTP(再生医療等製品の製造管理及び品質管理)」の 5 項目に関する資料の PMDA の評価などを受けて、円滑な承認申請への移行を目指すシステム

(参考)2024 年に発生した再生医療等製品を巡る事象

申請方針の変更の背景には、2024 年に発生した再生医療等製品を巡るいくつかの事象が影響しているものと推察される。

- ① サンバイオ社の細胞医薬「アクーゴ脳内移植用注」の商用製造に関する問題である。アクーゴは 2019 年 4 月に「先駆け審査指定」を取得し、2022 年 3 月に新薬承認申請を行ったものの、収率など製造上の問題などから、なかなか承認が下りず、2024 年 7

月によやく、条件付きで承認された。その条件には、承認までに2回程度の製剤製造を行い、同質性/同等性を確認することも含まれており、承認されたものの、当面製剤の出荷が許可されないという事態となった。その後2回の製剤製造では条件は達成できず、3回目の製造で条件を達成し出荷解除の条件が整った。これにより、2025年6月、一部変更承認申請まで到達したところである。

- ②2024年6月、アンジェス社が期限付き条件付きで承認されていた再生医療等製品「コテラジェン」に関し、2023年に正式申請を行っていたにもかかわらず、自ら申請を取り下げ、市販を中止するという事象が発生した。理由としては、市販後の臨床試験において承認申請に用いた臨床試験と同等の結果が得られなかったこと、さらに、適応症を変更した米国での臨床試験の途中経過が順調なことから、適応症等を変更して開発に切り替える方針が浮上したことが挙げられている。
- ② 2024年7月には、テルモ社の再生医療等製品「ハートシート」が市販後の臨床試験で、承認申請に用いた臨床試験と同等の有効性が得られなかったことにより、正式承認が得られなかった。

このような事象を背景に、再生医療等製品の早期承認制度の在り方に論議を巻き起こし、事前相談だけでなく、さらに市販後の臨床試験計画の詳細まで審査に含めた「総合評価」を実施するということになったものと推察される。

B. 先駆け総合評価相談の開始と終了、及び承認申請

方針変更後は、順調に先駆け総合評価相談が進展

方針の変更後は、承認申請に向けて順調に先駆け総合評価相談が進展した。

- 2025年3月18日 「先駆け総合評価相談開始」を公表
「臨床」項目に関する先駆け総合評価相談を開始
- 2025年5月13日 「非臨床」項目に関する先駆け総合評価相談を開始
「非臨床」項目とは主に動物実験でのデータ
- 2025年5月23日 「品質」項目に関する先駆け総合評価相談を開始
原薬や製品製造、それに関連する試験結果等のデータ
- 2025年6月24日「GCTP(再生医療等製品の製造管理及び品質管理)」に関する先駆け総合評価相談を開始

(注)GCTP(Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice)とは、通常の医薬品のGMPに相当するもので、日本の再生医療等製品に特化した製造管理及び品質管理の基準である。従来のGMPでは対応できない細胞や組織等特有のリスクに対応するため導入された。(製造工程では細胞等のトレーサビリティが重視される。また無菌性の保証や交差汚染の防止など従来の医薬品とは異なる管理が求められる)

| | |
|--|---|
| <p>2025年8月までに全5分野で先駆け総合相談が進行</p> | <p>○2025年8月5日「信頼性」に関する先駆け総合評価相談を開始</p> <p>(注)「信頼性」とは、品質試験、非臨床試験、臨床試験が、各信頼性の基準に従って行われたかの確認。提出された審査資料と原資料や記録との整合性のチェック。</p> <p>上記のように、2025年8月上旬までに、全5区分で先駆け総合評価相談が進行する状態に入った。その後、各区分での確認は順調に進行し、2026年1月下旬に先駆け総合相談を終了した。</p> |
| <p>2025年12月15日、承認申請を行った</p> | <p>○2025年11月25日「信頼性」区分の申請確認文書をPMDAから受領</p> <p>○2025年12月15日「信頼性」以外の4つの区分についても申請確認が得られることが確実となったため、「承認申請」を行った。</p> <p>○2025年12月26日「臨床」・「非臨床」・「品質」の3つの区分で申請確認文書をPMDAから受領</p> <p>○2026年1月28日「GCTP」の区分で申請確認文書を受領し、先駆け総合相談を終了</p> <p>○2026年4月3日 承認申請を行ったOBP-301に関し、PMDAにより「適合性書面調査」及び「GCP(Good Clinical Practice)実地調査」が行われ、両調査の結果が「適合」との通知を受領。原資料から承認申請資料までのデータの信頼性が確認された</p> |
| <p>オーファン指定も部会です承済</p> | <p>また、9月30日に希少疾病用再生医療等製品(「オーファン」)指定申請を行った。その後、厚労省の審査を経て、2025年11月20日の薬事審議会の再生医療等製品・生物由来技術部会(以下、部会)にて、希少疾病用再生医療等製品に指定することが了承された。オーファン指定により、承認後10年間後発品の申請が認められないほか、薬価にも好影響をもたらすと考えられる。</p> |
| <p>また、2025年12月に、カルタヘナ第一種使用規定変更が実現され、医療現場での使い勝手が改善</p> <p>外来通院での治療も可能</p> | <p>ところで、OBP-301はアデノウイルスを遺伝子改変した薬剤であるため、カルタヘナ法と呼ばれる「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物多様性の確保に関する法律」に基づき、環境面に配慮した取り扱いが必要となってくる。厳重な取り扱いが要求されると、採用する病院の拡大に影響する。しかし、OBP-301では、2025年12月12日、厚労省より、カルタヘナ第一種使用規定変更に関する承認書を受領し、臨床現場での処置、保管、運搬方法や廃棄物の処理などが軽減されることになった。具体的には、ウイルスが患者の体外へ漏出される量が微量であるため、マスクの着用や絆創膏でのカバー、内視鏡を使用する部屋の目張り等で対応できる。また、外来通院での治療も可能となった。</p> |

今後の予定

- 2026年4月下旬
部会の日程が浮上
- 2026年5月 部会答申
- 2026年6月 承認取得

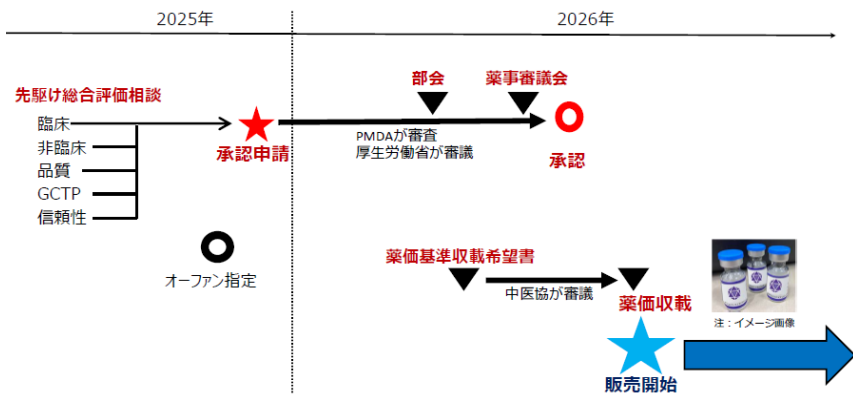
- 2026年8月 薬価収載

C 今後の予定

2025年12月に「承認申請」を行い、2026年1月には先駆け総合評価相談を終了しているが、申請から承認までの期間を6ヶ月以内とすることを旨とする先駆的医薬品指定制度の趣旨から推定すると、現在は、PMDA が薬事審議会の部会での審議に向けて精力的に精査を行っている段階であると考えられる。今後の主なイベントは以下のように想定される。

<今後の予定(想定)>

- 2026年4月下旬 5月の部会の日程と上程が公表
- 2026年5月後半 部会での審議と答申
- 2026年6月 厚労省の薬事審議会から「承認」を取得
(再生医療等製品の場合は必ずしも当てはまらないが、通常は部会の答申から3週間以内)
- 「承認」と前後して、正式にオーファン指定を獲得
- 2026年8月頃 「薬価収載」(再生医療等製品の場合は必ずしも当てはまらないが承認から通常60~90日以内)と「上市」



(出所) オンコリスバイオファーマ会社説明会資料 2026年2月

「期限及び条件付き承認」ではなく、「通常承認」を狙う

さて、オンコリスバイオファーマでは、他の再生医療等製品とは異なり、「期限及び条件付き承認」ではなく、「通常承認」を狙っている。条件及び期限付き承認となり、市販後臨床試験が必要となった場合、有効性が再現できるか否か確認が求められることとなるが、試験規模は統計的な分析に必要な30例ほどで、わざわざ今回の承認申請に用いられた Pivotal 試験(OBP101JP 試験:36例)とほぼ同じ、あるいは、やや少ない規模での試験を繰り返す意義は見出しにくい。

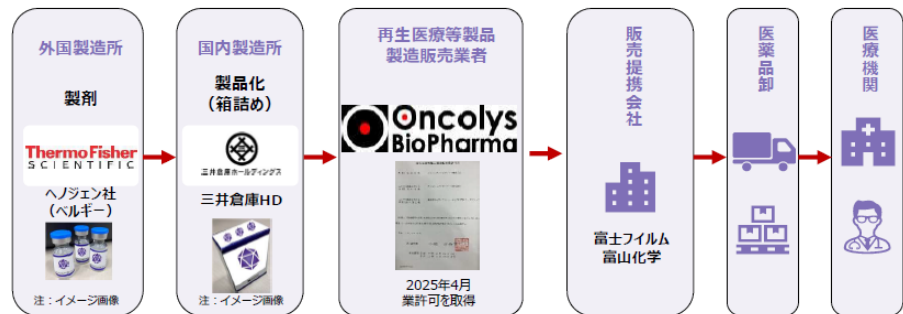
ただし、発売後には、副作用のパターンが OBP101JP 試験で生じた風邪の症状やリンパ球数低下だけでなく、テロメライシン®に特有の副作用が出現しないかを確認するための市販後全例調査(~100例)は必要であり、実施される。

サプライチェーンはほぼ完成

D.生産・供給体制

安定した生産・供給体制の確立がなければ、条件付き承認となる可能性があるが、既に、テロメライシンのサプライチェーンはほぼ完成している。まず、ヘノジェン(Henogen)社(ベルギー)(外国製造所として登録済)にて、原薬が製造され、製剤化(バイアルに充填)される。原薬の品質チェック等があるため、製造開始から製剤化まで、およそ2カ月~3カ月を要する。製剤は、空輸にて日本に持ち込まれ、国内製造所(三井倉庫HDの神戸事業所)にて製品化(ラベルと箱詰め)、包装された製剤が出荷できる品質か否かを検査し、販売会社である富士フィルム富山化学から卸会社を通じて医療機関に送られる。現在は、生産現場から医療機関まで安定した供給ができるか最終確認中である。

サプライチェーンの完成



(出所)オンコリスバイオファーマ会社説明会資料 2026年2月

原薬の製造に問題はなく、今後3回目の製造を予定している

① 原薬製造

オンコリスバイオファーマでは、すでに製造を委託しているヘノジェン社に検査のための査察を2023年6月に実施、原薬の各製造段階でのチェックで問題は発生していないことを確認、いくつかの細かな改善点についても、2023年11月に最終確認し、各工程に関する文書化も完了、**原薬のバリデーション作業は完了している**。2024年11月には、1回目の原薬の商用製造を完了しており、品質や収率に問題がないことを確認している。販売開始を見据えて、2回目も完了し、3回目も計画中である。

(注) バリデーションとは

製造規模が商用生産にスケールアップされると、研究室段階と比較して、途中の工程で使用される試薬や培養液など材料も変動し、空間的不均一性も増大する。また工程自体も変更や装置の変更なども発生する。従って、各工程において、材料の変動や工程自体及び装置の変更に対して、品質にマイナスの影響を与えることなく、再現性をもって製造できることを示す必要がある。バリデーションとは、設備、工程、手順などが期待される結果、すなわち再現性をもって製造できることを科学的根拠に基づき検証し、これを文書化して、製造した医薬品の品質を実証することである。

(参考) 再生医療等細胞製品の製造で問題となるポイント

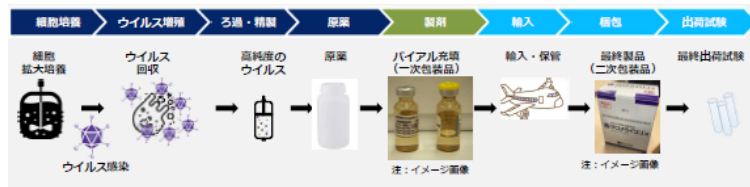
●原材料の質の変動

●工程の不安定性

引き金となる要因: 培養環境の乱れ、操作の乱れ、細胞自身の老化

増幅要因: 工程そのものの不安定性

●収率の安定性



(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2025年2月

② 製剤化

製剤の問題もクリアし、同等性・同質性も確認済

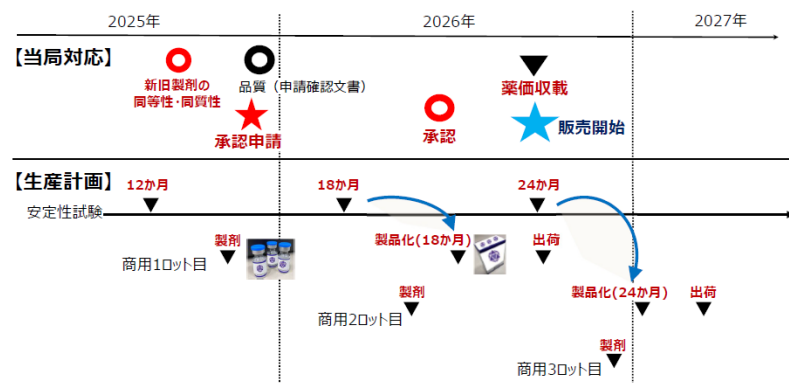
製剤化のバリデーション作業も完了している。異なるバッチ間での同等性については、オンコリスバイオファーマとして、米国 LONZA 社で製造した製剤とベルギーのヘノジェン社で製造した製剤を用いて確認済みである。

安定性試験も 18 カ月まで確認済

また、バイアル中の濁りの原因であるウイルスの凝集を抑制するための新製剤(Buffer の成分変更)の開発を完了している。変更部分は既知の添加物であり、一般に広く使用されている物質である。新製剤と旧製剤の同等性・同質性については、2025年9月、すべての試験項目で基準値の範囲であることが公表された。また、製剤の安定性に関して、新製剤で6か月安定性は確認済みであったが、2025年8月、12か月安定性も確認した。2026年2月には、18か月安定性も確認した。さらに、より長期の安定性(24か月、36か月)を確認し、市販後の流通在庫に十分対応できることを証明していく方針である。

市販後の流通在庫に十分対応できるよう、より長期の安定性を証明する

安定供給に向けた生産計画



(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026年2月

商用1ロット目は2026年上市とともに出荷

商用1ロット目の製剤は、2025年に製剤化が完了しており、18カ月の安定性を確認した製剤として、2026年後半に箱詰めと出荷を予定している。商用2ロット

2 ロット目は 2027 年出荷
予定

販売戦略は、オンコリスバ
イオファーマのメディカル・
アフェアーズと販社の富士
フィルム富山化学が立案

実際の販促活動は販社

初期の販促対象は約 80
施設だが、将来的には 300
施設以上に

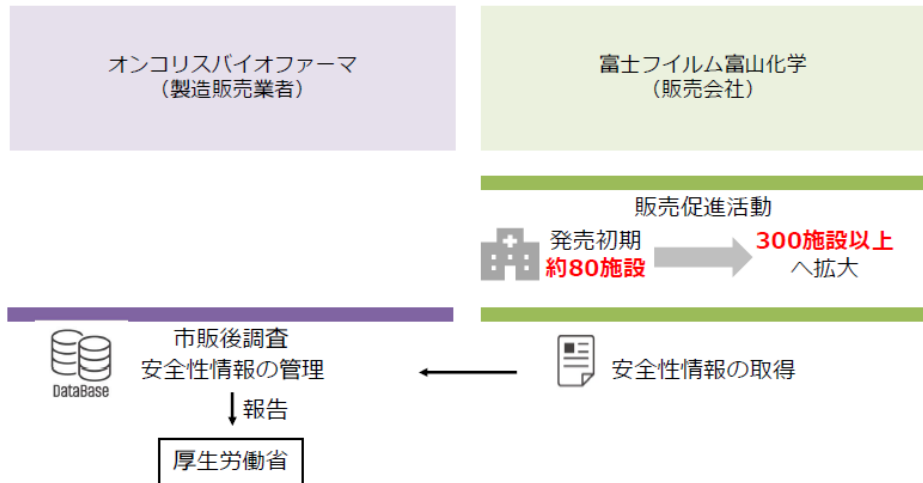
ト目も製剤化のスケジュールが確定しており、24 カ月の安定性を確認した後、製
品化され 2027 年に出荷予定である、商用 3 ロット目は 2026 年後半の原薬製造
と製剤化を予定している。

将来的には(2030 年ごろ)、自社製造拠点の確立によって製品の内製化を図
り、利益率の向上と安定供給体制の拡充を狙う構想も持っている。

E.販売体制

販売戦略は、オンコリスバイオファーマのメディカル・アフェアーズと富士フィル
ム富山化学が立案する。その戦略に基づいて、富士フィルム富山化学が販促
活動を行うよう、体制を整備済である。前述のようにカルタヘナ第一種使用規定
変更により、医療現場での簡便性を確保し、外来通院治療も可能となった。発売
当初は、拠点となる病院約 80 施設を対象に販促活動を行うが将来的(およそ 5
年後)には 300 施設以上をカバーする目標である。なお、MR 部隊など販促のた
めの組織は、富士フィルム富山化学側で整備するため、オンコリスバイオファ
ーマに大きな販促費用が発生することはない。オンコリスバイオファーマは、後述
する「食道がん局所療法研究会」などの運営を通じて、KOL と MR の間を繋ぐよ
うな機能や販社が収集した市販後調査の安全性情報を管理し厚生労働省へ報告す
る役割を担当する。

販売体制の整備



(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026年2月

F.営業戦略

① テロメライシン®のブランディング化

オンコリスバイオファーマでは、テロメライシン®の食道がん分野でのブラン
ディング確立を目指している。換言すると、「食道がんと言えばテロメライシン®」と
言われるような地位を目指している。今般、どのように活用すれば、テロメライシ

「食道がんと言えばテロメ
ライシン®」と言われるよう
な地位を目指す

薬価の予想は困難

類似薬比較よりも原価計算方式の方が、高薬価が見込めるため、原価の開示率向上をヘノジェンに期待

「通常承認」により、通常の営業利益率の設定と各種加算の獲得を期待している

ン®が食道がん領域で効果的に浸透するのか検討するために、KOL(Key Opinion Leader)による「食道がん局所療法研究会」を立ち上げており、2025年10月に第1回目の会合を持った。日本食道学会理事長である浜松医科大学上部消化器管外科の竹内教授が研究会の代表を務め、内科・外科のKOL10名ほどで構成されている。今後は年1回程度の開催を継続する予定である。(2026年は、福島県郡山市で開催される。)

② 高薬価戦略

薬価は、中医協が原価や有用性など様々な要素を総合的に勘案し決定されるものであり、予め予想することは難しい。

既存の腫瘍溶解ウイルス製剤であるデリタクト®の1バイアル当たりの薬価を参考の一つにする考え方もある。ただし、デリタクト®の場合、治療1クールあたり6回投与に対し、テロメライシン®では治療1クールあたり3回投与であるため、1クールあたりの費用を同一とすると、1バイアル当たりの費用は、デリタクト®の2倍でも可である。

ただし、類似薬との比較は、効能及び効果、薬理作用、組成、投与形態からみて類似性がある場合に成立する。類似薬が無い場合には、原価計算方式がとられ、一定の営業利益率を見込んだ薬価が設定される。オンコリスバイオファーマでは、原価計算方式の方が高薬価につながるため、製造委託先のヘノジェン社から当局への原価開示がどれだけ行われるか、開示率の向上を期待しているところである。

2026年2月の中外製薬のエレビジス®の薬価設定時に明らかになったように、「期限及び条件付き承認」の再生医療等製品は、有用性が客観的に確立されていないことから、営業利益率は通常の場合の半分に抑制され、画期性・有用性加算が原則ゼロである。テロメライシン®は、「期限及び条件付き承認」ではなく、通常の「承認」になると想定すると、原価計算方式における通常の営業利益率の設定(2026年度は15.8%)に加え、「先駆け加算」、「有用性加算」、「オーファン加算(市場性加算(I))」等の加算も期待できる。

(参考)各種加算制度

| 画期性加算 | 有用性加算 (I) | 有用性加算 (II) | 市場性加算 (I) | 市場性加算 (II) | 小児加算 |
|--|-----------------------|---|---|--|--|
| 以下の3つの条件をすべて満たす | 画期性加算の3要件のうち2つの要件を満たす | 次のいずれかを満たす | 次のすべてを満たす | 次のすべてを満たす | 次のすべてを満たす(但し、国内で小児対象の臨床試験を実施していない場合は除く) |
| 1. 臨床上有用な新規の作用機序 2. 類似薬に比べて、高い有効性または安全性を有することが客観的に示されている 3. 対象となる疾病負傷の治療方法の改善が客観的に示されている | | 1. 臨床上有用な新規の作用機序 2. 類似薬に比べて、高い有効性または安全性を有することが客観的に示されている 3. 対象となる疾病負傷の治療方法の改善が客観的に示されている 4. 製剤の工夫で、類似薬に比べて、高い医療上の有用性 | 1. 希少疾病用医薬品で、主たる効能効果が対象となる疾病であること 2. 比較薬が市場加算 (I) の適応を受けていない | 1. 主たる効能効果が対象となる疾病であること 2. 比較薬が市場加算 (I) (II) の適応を受けていない | 1. 主たる効能効果又は用法用量に小児に係るものが明示されている 2. 比較薬が小児加算の適応を受けていない 市場性加算 (II) にも該当するときは小児加算を優先 |
| 加算率 70~120% | 35%~60% | 5%~30% | 加算率 10%~20% | 5% | 5%~20% |

(出所) 中医協資料よりフェアリサーチ作成

本レポートは、フェアリサーチ株式会社(以下、FRI)が、投資家への情報提供を目的として作成したものであり、証券売買の勧誘を目的としたものではありません。FRIが信頼できると判断した情報・資料に基づいており、掲載された内容の正確性・信頼性・完全性・適合性・適時性をなんら保証するものではありません。FRIは本レポートを利用したことまたは依拠したことによる直接的・間接的な損害を含むいかなる結果に対しても一切の責任を負いません。有価証券並びにその他の取引に関する責任は投資家自身にあります。本レポートの知的所有権はFRIに帰属し、許可なく複製、転写、引用等を行うことは法的に禁止されております。

内視鏡を用いた投与に関する用途特許を取得済

消化器領域での囲い込みが可能

次は、食道がんでの CRT 併用療法

年後半に開発着手

RT 併用療法に比べ対象患者が多い

G.適応拡大の方向性

① 知的財産権:用法特許は取得済

オンコリスバイオファーマは、2025年3月、「腫瘍溶解アデノウイルスの投与方法に関する用法特許」を日本で特許査定を受け、5月に特許権が成立している(特許存続期間は2040年5月まで)。この特許は腫瘍溶解アデノウイルス(OBP-301だけでなくOBP-702や競合他社のウイルスも対象)を内視鏡で投与する際に安定した治療効果を発揮するために必要な用法をカバーする特許である。対象となるがん種も食道がんだけに限定されているわけでもない。この特許により、オンコリスバイオファーマは、消化器領域等で内視鏡投与による腫瘍溶解ウイルス製剤の囲い込みが可能となる。

② 食道がん:CRT(化学放射線)との併用療法への効能拡大

オンコリスバイオファーマでは、既に、放射線(RT)併用療法のみ(年間患者数450名程度)にとどまらず、食道がん全体へ使用できないかPMDAと議論を開始している。食道がんでは次のターゲットは化学放射線(CRT)併用療法であり、2030年の承認取得を目指して、OBP-301の上市後の試験開始を予定している。ちなみに、国内の食道がん患者のうちステージⅡ・ⅢでCRT療法の患者数は、年間1,100-1,200名である。前述の研究会でもCRT併用療法に対応できるように期待している。

(参考) 想定される対象患者数

食道がん

| | ステージ | | | | | |
|---------------|-------|--------|-------|-------|-------|------|
| | 0期 | I期 | II期 | III期 | IV期 | 不明 |
| 各ステージ症例数 | 2,993 | 10,440 | 2,568 | 3,451 | 5,290 | 407 |
| (治療方法の割合) | (%) | | | | | |
| 手術のみ | 1.3 | 9.0 | 11.9 | 6.1 | 2.0 | --- |
| 内視鏡のみ | 85.0 | 65.3 | --- | --- | 0.0 | 2.5 |
| 手術+内視鏡 | --- | 2.3 | 0.8 | --- | --- | 0.0 |
| 放射線のみ | 0.8 | 2.8 | 9.9 | 5.5 | 8.1 | 10.8 |
| 薬物療法のみ | 0.4 | 0.8 | 7.0 | 10.8 | 30.4 | 7.4 |
| 放射線+薬物 | 0.8 | 6.9 | 17.5 | 19.8 | 29.4 | 7.6 |
| 薬物+その他 | 0.0 | --- | 0.0 | --- | 0.2 | 0.0 |
| 手術/内視鏡+放射線 | --- | 0.6 | --- | --- | 0.2 | --- |
| 手術/内視鏡+薬物 | --- | 2.9 | 39.6 | 48.4 | 12.4 | 3.7 |
| 手術/内視鏡+その他 | --- | 0.2 | 0.0 | 0.0 | 0.0 | 0.0 |
| 手術/内視鏡+放射線+薬物 | 0.0 | 2.9 | 1.4 | 3.4 | 2.5 | --- |
| 他の組み合わせ | 1.6 | 0.8 | --- | --- | 0.2 | --- |
| 治療なし | 9.7 | 5.5 | 11.1 | 5.5 | 14.4 | 66.6 |

444 例

1,132 例

0 例

153 例

(出所)院内がん登録全国集計 2023年版よりフェアリサーチ作成

食道がん以外では、下部直腸/肛門がんを計画

人工肛門を回避できる治療法として意義は大きい

上半期に治験申請を計画

③ 下部直腸/肛門がんへの効能拡大

食道がん以外での効能追加として、下部直腸/肛門がん及び咽頭がんを計画している。

下部直腸/肛門がんは放置すると手術が必要となり、人工肛門を造設しなければならないケースがある。人工肛門は患者のQOLに多大な影響をもたらすため、テロメライシン®と放射線を併用することで肛門を温存することは臨床的な意義は非常に大きいと考えられる。現在、下部直腸/肛門がんのうちステージⅡ・Ⅲで永久人工肛門に陥る患者数が約2,000名存在すると考えられる。2026年上半期に治験申請(50例程度)、後半には最初の患者組み入れを予定している。2030年までに承認を得る構想である。

下部直腸/肛門がんにおける対象患者数(試算)

| | | | |
|---------------------------------|-----------|----------------|----------------------|
| 直腸がん | stage II | 7,810 例 | 院内がん登録症例集計2023年 |
| | stage III | 10,251 例 | |
| | 小計 | 18,061 例 | |
| うち下部直腸がんの比率 | | 40% | がん研有明病院 大腸がん部位別比率 |
| うち肛門がんの比率 | | 3% | |
| stage II・IIIの 下部直腸/肛門がんは | | 7,766 例 | |
| 下部直腸がんの永久人工肛門比率 | | 23% | がん研有明病院 部位別肛門温存率 |
| 肛門がんの永久人工肛門比率 | | 100% | |
| 上記7,766例のうち 永久人工肛門となるのは | | 2,203 例 | |

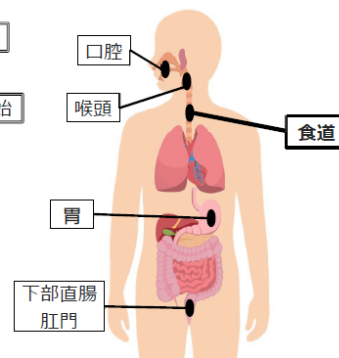
(注) がん研有明病院のデータは、2005-2011年 1,046症例に基づく

(出所)院内がん登録全国集計 2023年版及びがん研有明病院資料よりフェアリサーチ作成

食道がん以外の適応拡大の方向性

“食べ物の入り口から出口まで”

1. 下部直腸・肛門がん → **臨床試験年内開始**
化学放射線療法+“地固め化学療法”への併用
2. 喉頭がん → **臨床試験年内若しくは来年初開始**
化学放射線療法への併用
3. 口腔がん・顎がん
化学療法/放射線療法への併用
4. 胃がん
免疫チェックポイント阻害剤との併用効果を米国医師主導試験進行中



(出所)オンコリスバイオファーマ

局所進行咽頭がんを対象とした開発も計画中

咽頭がんは、局所進行咽頭がんでの標準療法となっている化学放射線療法との併用を想定しており、年内遅くあるいは来年初の臨床試験の開始を予定している。

食道がん RT 併用療法で 450 名程度、CRT 併用療法で 1100 名程度、下部直腸/肛門がん 2000 名前後
 薬価が未定なので、薬価が決定次第、想定市場規模は、改めて Update

H. 国内市場規模

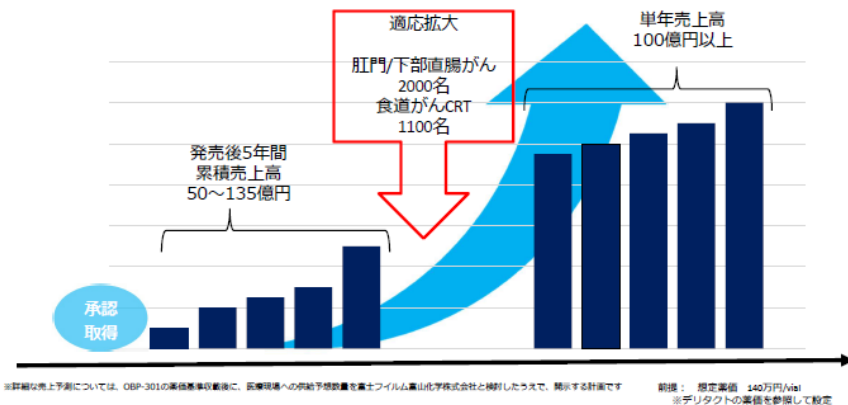
現時点で想定できる市場は、まずは①食道がん対象の放射線(RT)併用療法であり、2030年までに②食道がん対象の化学放射線(CRT)併用療法と③下部直腸/肛門がん対象の放射線療法である。年間患者数は、①450名前後、②1,100名前後、③2,000名前後と推定される。

薬価はまだ決まっていないが、仮に、先行して承認された腫瘍溶解ウイルス製剤であるデリタクト®と同様の1バイアル140万円と仮定すると、患者1名あたり3バイアル使用するため、ピーク時の市場規模は、次のように計算される。

- ① 食道がん対象の放射線(RT)併用療法18.9 億円
- ② 食道がん対象の化学放射線(CRT)併用療法.....46.2 億円
- ③ 下部直腸/肛門がん対象の放射線療法.....84.0 億円

以上から、2030年以降には単年度売上げが100億円以上に達する可能性がある。

OBP-301 の想定市場規模



(出所)オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025年8月

ただし、オンコリスバイオフーマでは、前述のように高薬価を狙っており、上記の試算は大きく改訂される可能性がある。薬価が決定した後、販社と協議の後、想定市場規模は Update される予定である。

I.海外展開の方向性

食道がん患者の多いアジアに注目

オンコリスバイオフーマでは、日本以外でのビジネス展開にも着手している。食道がんは、アジアに約39万人の患者が存在し、全世界の約70%が集中しており、市場機会の拡大が期待できる。既に、台湾では、Medigen 社に台湾での販

日本での承認データを活用できる

提携有望先は、承認は通常承認となるか様子見中

アジアの次は英国に注目

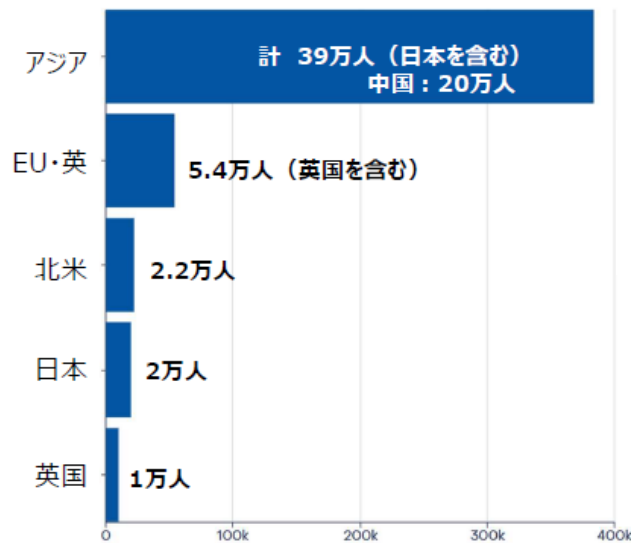
年内に少なくとも1社との提携を目指す

売権を許諾しており、申請に向けて調査中である。このほか、日本で承認されたことの証明(CPP; Certificate of Pharmaceutical Product)を活用して販売できるアジア諸国の提携候補先と販売提携を進める予定である。台湾以外には、韓国やシンガポールが有望先で、各社とも、日本で「条件付き承認」か「通常承認」か、様子を見ているところである。なお、中国について、患者数は多いものの、現地製造を実施しなければならない、あるいは追加臨床試験を実施する必要がある可能性があり、コスト負担を勘案して、優先度は高くない。

アジアの次は、英国での展開を対象としている。これは、英国独自の薬事制度(International Recognition Procedure)により、日本を含む2か国の承認がとれていけば、その海外データを基に申請が可能のためである。英国を含む欧州各国をカバーできる提携候補先との交渉を進める予定である。ただし、EU や米国は重要な市場であるが、大規模臨床試験が必要となり、開発期間及びコスト負担が大きいため優先度は英国よりも下げている。

オンコリスバイオファーマでは、日本での通常「承認」取得を梃にして、年内に少なくとも1社との提携契約を目指している。

食道がん患者の分布



(出所)オンコリスバイオファーマ 事業説明会資料 2026年3月26日

IARC 「GLOBOCAN 2022」

(参考)米国での開発状況 Update

①手術不能の食道がん:放射線・化学療法併用 オーファン指定

切除不能の食道がんでの一次治療では、日本では、先駆け指定を受けた放射線(RT)併用療法の開発が先行しているが、米国における標準治療は放射線化学(CRT)併用療法である。2020年6月、米国FDAにより食道がんを対象としたテロメライシン®とCRT療法の開発はオーファン指定を獲得し、米国NRGオンコロジー(非営利臨床試験機関)と医師主導治験(Phase1)の契約を締結し、治験が始まった(組入れ症例数15例)。化学療法と放射線の併用だけではRECISTベースの奏効率(CR率)が40-50%であるのに対し、テロメライシンも加えることで従来を上回る有効性(65%以上)を目指していた。

2025年1月、ASCO-GIにおいて、その安全性と有効性が報告されている。

- 1) 規定回数の投与を完了した14例で安全性を評価したが、OBP-301の投与を中止しなければならないような有害事象(DLT)は報告されなかった。主な副作用も、軽度の風邪関連症状(20%)、中等度の食道炎(7%)であった。
- 2) 15例のうち2例で効果確認前の死亡例があったが、1例は試験開始前から認められていた肺の線維化が放射線照射によって悪化した可能性が考えられ、OBP-301治療との関連性はないと判定されている。他の1例は、気管と食道が重なる部位に食道がんがあり、気管にも腫瘍が浸潤していたことから、治験によって腫瘍が縮小したため、その箇所にも穴が開いたものである。しかし、これはOBP-301の投与量を制限すべき用量制限毒性(DLT)には当たらない。
- 3) 大規模なNRG/RTOG0436研究(2008-2013年)での化学放射線療法の有効性:cCR率が58%であるのに対し、OBP-301を上乗せした併用療法では、13例と少数例で単純な比較はできないが、cCR率は100%となった。
- 4) 2026年4月26-29日にアイスランドで開催される国際腫瘍溶解ウイルス学会(IOVC2026)でも報告予定

| | |
|---------------|--|
| 目的 | OBP-301+化学放射線療法の安全性および探索的な有効性を評価 |
| 投与薬 | 1. カルボプラチン、パクリタキセル(化学療法) 2. 放射線治療 3. OBP-301 |
| 対象 | 手術不可能な食道がん及び胃食道接合部がん患者 |
| 登録人数 | 15例(62~87歳) |
| clinical CR率* | 100%(n=13) |
| 主な副作用 | 軽度の風邪関連症状(20%) 中等度の食道炎(7%) |

(注) Clinical Complete Response率(cCR率): 内視鏡的所見や病理生検によって、食道がん原発病変(OBP-301治療の場合は投与箇所)の腫瘍消失が確認された割合

(出所)オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2025年2月

この結果を基に、2025年以内にFDAとEnd of Phase1 Meetingを行い、さらに大規模な臨床試験(Phase2)で有効性を再確認するため、プロトコル等について話し合う計画であった。しかし、Phase2になると症例数が各群150-200例程度が想定されるため、100億円規模の資金が必要とされる。現時点では、米国では内視鏡投与に対するさまざまな意見があることも背景に、今後の方針についてNRG内で引き続き検討中である。

②米国: 胃がん/胃食道接合部がん ペムブロリズマブ併用療法

もともと胃/胃食道接合部がんを対象とするテロメライン®とペムブロリズマブ(キイトルーダ®)併用の開発は、2019年1月からコーネル大学にて医師主導治験(Ph2)で行われてきた。対象患者はステージIVの重症患者で、免疫チェックポイント阻害剤単独では奏効しにくいケースであるが、2023年3月までに、評価可能16例のうち3例の長期生存例や1例の完全奏効が確認されていた。

2023年12月、これまでの結果を背景に、胃がん及び胃食道接合部がんの二次治療を対象に、腫瘍溶解ウイルス薬テロメライン®と免疫チェックポイント阻害剤ペムブロリズマブの併用療法について、コーネル大学と免疫チェックポイント阻害剤を保有するメルク、オンコリスバイオファーマの3者による共同開発体制が構築された。費用の分担は、ペムブロリズマブはメルクが無償提供し、残りの費用は、オンコリスバイオファーマとメルクが折半している。

この医師主導治験 Phase2 の試験デザインは、一次治療で免疫チェックポイント阻害剤が奏効しなかった 2 次治療患者が対象で、テロメライン®とペムブロリズマブの 2 剤投与の Single-Arm(Open Label)となっている。なお、試験開始当初は HER2陰性患者のみを対象としていたが、現在は HER2陽性患者も対象とし、開発を加速させる計画である。主要評価項目である客観的奏効率(ORR)で、目標が 20%となっている。目標症例数は 1st ステージが 13 例で、1 例も奏効しなければ早期中止、1 例でも奏効すれば、2nd ステージ 14 例にステップアップし合計 27 例となる。現時点で 2nd ステージまでステップアップする可能性が高まっているようだ。2026年2月時点で 1st ステージは、目標症例数 13 例に対し 12 例まで組み入れが進行しており 2026 年年内に完了する予定である。

● **治験概要**

対象: **抗PD-1/PD-L1抗体を含む一次治療に抵抗性のある胃癌・胃食道接合部癌患者**

評価項目:

1. 主要評価項目
客観的奏効率
2. 副次的評価項目
病勢コントロール率、奏効期間、全生存期間、無増悪生存期間
3. 探索的評価項目
RNA配列分析による腫瘍-免疫微小環境評価

| | |
|---|--|
| <p>OBP-601 はもともと HIV 治療薬として開発していたが、2020 年 6 月、新規メカニズムで神経変性疾患を対象に開発を目指すトランスポゾン社へ導出</p> | <p>2. OBP-601 は Pivotal 試験開始へ</p> <p>OBP-601(センサブジン)は、もともとオンコリスバイオフーマが米国 Yale 大学から導入した HIV 治療薬であり、核酸系逆転写酵素阻害剤(NRTI)の一種であった。HIV 治療薬の市場は飽和し、なかなかライセンス先は見つからない状態が続いていたが、2020 年 6 月、オンコリスバイオフーマは、OBP-601 による全く新しいメカニズムで、ALS や認知症などの神経変性疾患を対象とした治療法の開発を目指す米国のトランスポゾン社とライセンス契約(全世界における再許諾権付独占的ライセンス契約)を締結した。契約総額は 3 億ドル以上で、さらに販売ロイヤリティが加わる見込みである(ロイヤリティ率は非公表)。開発・製造・販売のコストは全てトランスポゾン社が負担することになっている、なお、トランスポゾン社でのコードネームは TPN-101 になっている。</p> |
| <p>神経変性疾患の原因として、選択的スプライシングにより LINE-1 が発生し、神経炎症物質が生成されることが指摘されてきている OBP-601 は選択的スプライシングを抑制する薬剤</p> | <p>現在では、筋委縮性側索硬化症(ALS)やアルツハイマー病などさまざまな神経変性疾患の原因として、脳内でゲノム(DNA)からたんぱく質が合成されるときに、選択的スプライシング(alternative splicing/cryptic splicing とする論文もある)により LINE-1 が発生し、神経炎症物質が生成されることが指摘されている。OBP-601 は、脳内に入り、この選択的スプライシングを抑制する効果をもつ薬剤である。</p> |
| <p>2024 年に、PSP と C9-ALS を対象とした Phase2a で有望な結果が報告されている</p> | <p>2024 年には、PSP(Progressive Supranuclear Palsy; 進行性核上性麻痺)や C9-ORF72 変異型の筋萎縮性側索硬化症(Amyotrophic Lateral Sclerosis; 以下 C9-ALS)と前頭側頭型認知症(FTD: Frontotemporal Degeneration)を対象とした試験(Phase2a)が行われ、安全性・忍容性のみならず、神経変性疾患特有のバイオマーカー(脳脊髄液中の NfL 値)の上昇の抑制や炎症性神経炎のバイオマーカー類(オステオポンチン等)の低下が観測されている。また臨床症状を測定する臨床スケールや肺活量などの値も症状の安定化を示唆する結果が得られている。</p> <p>(注)メカニズムの詳細やこれまでの臨床試験の結果については、ベーシック・レポート改訂版 2025 年 3 月発行を参照)。</p> |
| <p>PSP は FDA の助言に基づいて Phase3 の準備中</p> | <p><今後の展開></p> <p>① PSP に関して、トランスポゾン社は、中間解析後の 2024 年 5 月に FDA より Fast Track 指定を受けている。最終解析後の 2024 年 7 月に FDA と End of Phase2 Meeting を実施済で、現在 FDA の助言に基づいて Phase3 の準備を進めている。</p> <p>ところで PSP は希少疾患ではあるが、Phase3 ともなると症例数はプラセボ対比 2 群(各群 50-100 例程度)の大規模な臨床試験が行われると考えられ</p> |

開発資金の工面が出来たら Phase3 開始予定
2026 年上半期の開始を見込む

Phase2a の良好な成績が評価され、2025 年 5 月、ヒーリーALS プラットフォームに採用された

ALS を対象とした開発は、このプラットフォームを活用し、大規模な治験 (Phase2/3) を年内に開始する予定

2025 年 7 月、アルツハイマー病創薬財団は、OBP-601 がアルツハイマー病薬として有望であると判断し約 500 万ドルの投資を行う予定となった

Phase2 の開始はまだ先になりそう

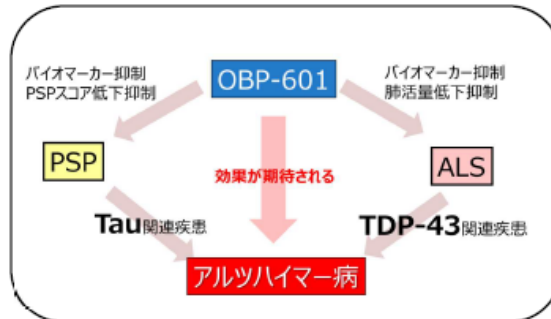
る。バイオマーカーの検査やその統計処理などを考え、1 例あたりのコストも 10 万ドル前後の水準と仮定すると、200 例で 20 百万ドルを要する。昨今、米国では、バイオベンチャーを取り巻く資金調達環境は厳しいものが続いており、Phase3 の開始が遅れていたが、2026 年上半期には、ファイナンスを完了する見込みで、資金調達完了後、速やかに Phase3 試験を開始する準備は整っている。

② C9-ALS に関して、トランスポゾン社は 2025 年 1 月に Phase3 ヘステップアップするための End of Phase2 Meeting を実施済みである。(なお、FTD についてはデータにばらつきが多く最終的な評価ができていない。) 2025 年 5 月、Phase2a での有望な成績が評価され、ヒーリーALS プラットフォームに採用された。ヒーリーALS プラットフォームは ALS など運動神経に異常がある病気に関する研究と臨床試験を実施する全世界 150 以上の施設で構成された国際非営利組織 Northeast ALS Consortium (NEALS) の協力によって推進されるもので、安全で効果的な治療法が見つかるまで複数の治験薬を並行して試験する、多施設共同・二重盲検・プラセボ対照のプラットフォーム試験である。このプラットフォーム試験の一つとして、C9-ALS に限定せず ALS 全般を対象とした大規模な治験 (Phase2/3) を 2026 年内に開始する予定で、開始時期を現在ヒーリー側と調整中である。

③ 2025 年 2 月、アルツハイマー病 (AD) を対象とした OBP-601 (TPN-101) の開発 (Phase2) の開始を年内に計画していることを公表していたところ、7 月に大きな進展があった。アルツハイマー病創薬財団 (Alzheimer's Drug Discovery Foundation; ADDF) から、OBP-601 がアルツハイマー病に対し有望であると判断され、トランスポゾン社が約 500 万ドルの投資を受けることとなった。トランスポゾン社は、この資金を活用して、アルツハイマー病を対象とした Phase2 試験を開始する計画を公表していたが、提携候補先のメガファーマから、高用量での試験も期待されており、デザインの見直し等から、PSP や ALS よりも開始時期は先になりそうだ。

(参考)

OBP-601 がアルツハイマー病にも有効であると判断された背景には、同じタウオパチー病態である PSP にて有効性が確認されたこと、またアルツハイマー病でも 50%の患者に TDP-43 蛋白質異常がみられるが、同じ TDP-43 蛋白質異常がみられる ALS に対し OBP-601 の有効性が確認されていることがあると推察される。



(出所) オンコリスバイオフーマ 事業説明会資料 2026年3月

なお、2026年3月には、トランスポゾン社が、米国医療先端研究計画局 (ARPA-H) の PROSPR(Proactive Solutions for Prolonged Resilience)プログラム の下で、OBP-601を用いた健康寿命の延伸を目的とした研究開発に、最大2,200万ドルの研究開発支援を受けることが公表された。

トランスポゾン社では、上記のように資金調達を進めると同時に、パートナーングや事業提携等あらゆる可能性を模索している。サブライセンスや M&A 等コーポレートアクションの規模としては、神経難病領域で、過去にライセンス取引が成立した例を参考にすると、かなり大きな金額が期待できる可能性がある。CNS 領域はがん領域と並んで M&A の対象として注目されている分野である。サブライセンスや M&A 等コーポレートアクションの規模としては、神経難病領域で、過去にライセンス取引が成立した例を参考にすると、かなり大きな金額が期待できる可能性がある。トランスポゾン社でコーポレートアクションが発生した場合、オンコリスバイオフーマにも相応の収入がもたらされることを忘れてはならない。

CNS 領域は M&A 等の対象として注目されている

トランスポゾン社でコーポレートアクションが発生した場合、オンコリスバイオフーマにも相応の収入

2026 年は、PSP や ALS の Pivotal 試験開始により、マイルストーンが発生する

また、2026 年は、PSP や ALS の Pivotal 試験開始により、マイルストーンが発生することが期待できる。



(出所) オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2026年2月

(参考)後期段階にある神経難病領域でのライセンス取引例等

| 発表時 | ライセンス獲得 | ライセンス提供 | 適応症 | 対象薬剤 | ライセンス時の開発段階 | 現在 | 一時金 | 総額 |
|---------|----------|----------------|---|--|---|-----------------------|-------------------------|--------------|
| 2019.12 | Roche | Serepta | DMD(筋ジストロフィー) | SRP-9001 (遺伝子治療薬) | Phase2 | Phase2で迅速承認 2023.6 | 1725億円 | 3525億円 |
| 2020.8 | Biogen | Denali | パーキンソン病 | DNL151 (低分子) | Phase2 | Phase3 | 1537億円 | 3225億円 |
| 2020.11 | Biogen | Sage | うつ病などの精神疾患 | SAGE-217(zuranolone) SAGE-324(いずれも低分子) (いずれも低分子) | Phase3 Phase2 | 承認 2023.8 Phase2b | 合計 2287億円 | 合計 4687億円 |
| 2024.12 | Novartis | PTC | ハンチントン病 | PTC518:votoplam(低分子) | Phase2 pivotal | | 1500億円 | 4350億円 |
| | 買収元 | 買収先 | 適応症 | 主な候補品 | M&A時の開発段階 | | 買収金額 | |
| 2023.12 | Abbvie | Cerevel | パーキンソン病 統合失調症 など | Tavapodon Emraclidine (いずれも低分子) | Phase3 Phase2 | | 1兆3千億円 | |
| 2023.12 | BMS | Karuna | 統合失調症 など | KarXT | filing for NDA PDUFA : 2024 September 26 | | 2兆円 | |
| 2024.10 | Abbvie | Aliada | アルツハイマー型認知症 | ALIA-1758 | Phase1 | | 2100億円 | |
| 2024.11 | Novartis | Kate | DMD FSHD DM1 X-linked Myotubular Myopathy はAstellasへ導出 2024.6 | AAV gene therapy | Preclinical | | 1650億円 | |
| 2025.1 | J&J | Intra-cellular | 統合失調症、双極性うつ病 | Caplyta(lumateperone) | 承認済み MDDへの用途追加は申請済み | | 2兆2千億円 | |
| 2025.6 | Supernus | Sage | うつ病 | Zurzuvae | 承認済み Postpartum depression で唯一の承認薬 | | 1145億円 | |
| 2026.3 | 大塚製薬 | Transend | PTSD | TSND-201 (低分子) | Phase3 (Breakthrough Therapy指定) | | 1800億円 (含む売上マイルストーン) | |

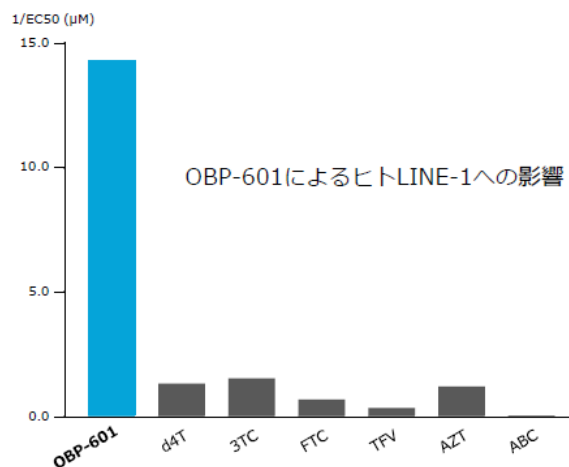
(出所)オンコリスバイオフーマ 事業説明会資料等にフェアリサーチ加筆

(参考) HIV 薬等を用いた神経変性疾患を対象とした他の開発例

- 例1:Lamivudine, テキサス大学 Phase2a(NCT04552795)医師主導治験(12例)
- 例2:Emtricitabine, ブラウン大学 Phase1(NCT04500847)途上 医師主導治験
- 例3:Kamuvudine-9, Inflammasome Therapeutics 社 神経変性疾患分野はこれから
- 例4:LINE-1 RT Inhibitor, Rome Therapeutics 社 前臨床よりも前の段階

⇒ トランスポゾン社の開発が最も先行していると考えられる

また、OPB-601 は他の HIV 薬(Lamivudine(3TC)や Emtricitabine(FTC)等)と比較し
神経細胞においてLINE-1の産生を最も強く抑制している



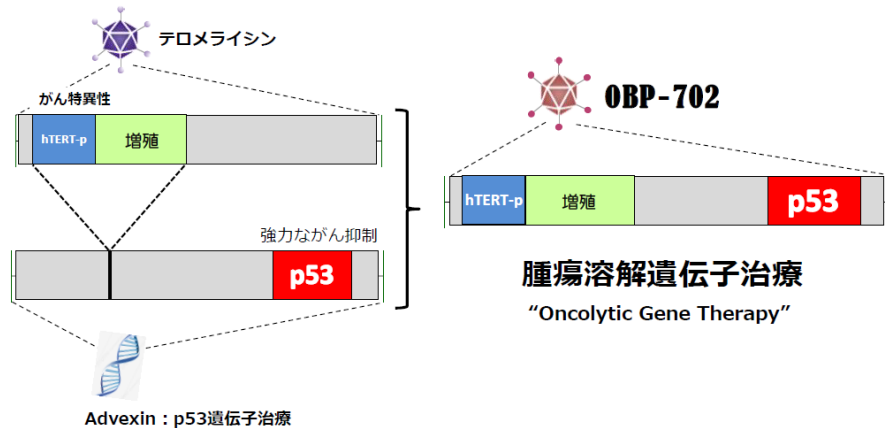
(出所) オンコリスバイオフーマ 事業計画及び成長性に関する事項 2025年3月

OBP-702 は、がん抑制遺伝子の一つである p53 を組み込んだ腫瘍溶解ウイルス

3. OBP-702:臨床試験開始へ

OBP-702 は、テロメライシン®に、がん化した細胞を自然死させるがん抑制遺伝子の一つである p53 を組み込むことで、より有効性を高めた腫瘍溶解ウイルスである。この OBP-702 の特色は、テロメライシン®や既治療で効果が得られにくいがん種＝すい臓がんや胃がん腹膜播種等に有効であることが期待されるという点である。

OBP-702 の概念図

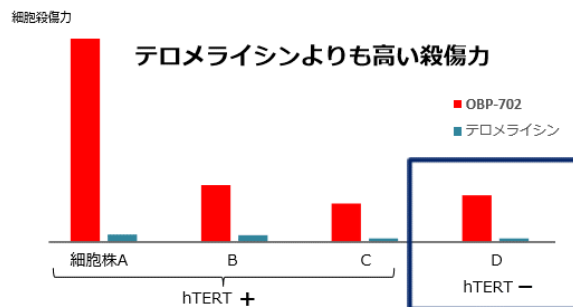


(出所)オンコリスバイオファーマ

そのような優れた特性をもたらす理由として、以下の3点が挙げられる。

① p53 遺伝子欠損・変異がん

がんに有効
がん患者の30-40%は p53 遺伝子が変異・欠損しており、難治性となりやすい。OBP-702 が、がん細胞で p53 を放出することにより、がん細胞のアポトーシスを誘導し、異常な細胞の排除を促す。



(出所)オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料

(参考)MDM2 と p53

p53 遺伝子が正常でも、MDM2 タンパク質の過剰発現が p53 を不活化することが知られている。したがって、MDM2 が過剰発現していると OBP-702 が奏功しにくいという懸念もあるが、アデノウイルスの E1A が MDM2 を下げることが確認されており、MDM2 過剰の場合でも OBP-702 の効果は期待できる。

p53 遺伝子欠損・変異がん
に有効

| | |
|-----------------------------|--|
| <p>KRAS 遺伝子変異がんでも有効</p> | <p>② KRAS 遺伝子変異がんでも有効 KRAS 遺伝子変異がんでは、細胞死を誘導する p21 の機能が作動しない。KRAS 変異がんでも、p53 を注入することによって p53 の下流にある p21 が機能することが期待される。</p> |
| <p>がん関連線維芽細胞 (CAF)も攻撃</p> | <p>③ がん関連線維芽細胞(CAF)に対する攻撃 CAF(Cancer Associated Fibroblast)は間質として、抗がん剤や免疫チェックポイント阻害剤が、がん細胞を攻撃するのを妨げる性質がある。すい臓がん等で特に問題視されるポイントである。CAF ではテロメラーゼの活性も低く、テロメライシン®も奏功しにくい。OBP-702 が、テロメラーゼ非依存的に p53 を放出し、p53 が CAF を攻撃し、CAF が抗がん剤や免疫チェックポイント阻害剤の働きを抑制するのを除外する作用をすると考えられる。</p> <p>2022 年度は、岡山大学が獲得した AMED(国立研究開発 法人日本医療研究機構)の資金を活用し、前臨床試験を継続するとともに GMP 製造を開始した。2023 年度も AMED 資金を活用し、治験薬の GMP 製造確立を遂行した。2024 年度は、オンコリスバイオファーマは、岡山大学と共にすい臓がんを対象とした治験(Phase1)計画の策定を継続してきた。そして 2025 年 3 月 7 日、岡山大学による OBP-702 の医師主導治験 Phase1 が AMED 助成事業に採択され、2025 年 4 月～2028 年 3 月の 3 年間、総額約 3 億円が助成されることが公表された。</p> |
| <p>2026 年、初めての臨床試験が開始予定</p> | <p>現在は Phase1 の準備中で、2026 年内に開始され、2 年ほどかけて、安全性や用法が検討される予定である。オンコリスバイオファーマでは、すい臓がん以外のがん種も含めて候補対象とし、希少疾患での開発を考えている。例えば、テロメライシンが奏功しなかった食道がんを対象とするなどのアイデアもある。</p> |

テロメライシン®の承認申請に向けた開発・準備が加速したことにより赤字拡大

II 2025年決算とファイナンス

2025年の売上は28百万円であり、前年同期の31百万円から3百万円減少した。トランスポゾン社から前年同期と同額の収入が発生したものの、円高により円ベースで減少したものである。営業損失は20億24百万円となり、前年の16億81百万円から3億43百万円ほど拡大している。これは、テロメライシン®の申請に向けた開発・準備が加速してきたためで、2025年の研究開発費が14億70百万円と、前年より3億82百万円ほど拡大したためである。経常損失は、営業損失の拡大に加え、円高による為替差損のため前年同期比3億88百万円ほど拡大し、20億51百万円の損失となった。結果として、当期純利益は20億58百万円の赤字となっている。

2025年損益計算書のポイント

単位：百万円（百万円未満を単純切捨て）

| | 2024年 1-12月 | 2025年 1-12月 | 増減額 | 主な要因 |
|-------|----------------|----------------|------|---|
| 売上高 | 31 | 28 | △3 | トランスポゾン社からの収入が発生したが、円高の影響で減取になった。 |
| 営業利益 | △1,681 | △2,024 | △343 | 研究開発費：382百万円増加。 研究開発費 1,088百万円（2024年）⇒ 1,470百万円（2025年） |
| 経常利益 | △1,663 | △2,051 | △388 | 営業損失の拡大に加えて、新株発行に伴う費用や為替差損などが発生した。 |
| 当期純利益 | △1,684 | △2,058 | △374 | 上記の要因により、当期純損失は前年度比で374百万円増加した。 |

（出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026年2月

2026年の売上収益予想は不確定要素が多いため未定

なお、会社側では、2026年の売上収益予想は未定としている。その理由として、以下の点を挙げている。

- ① OBP-301(テロメライシン®)の薬価
- ② OBP-301の販売開始時期や出荷本数などの市場展開
- ③ OBP-301のマイルストーン収入(台湾での承認に伴うものなど)
- ④ OBP-601の開発イベント達成(PSPやALSでのpivotal試験開始)
- ⑤ トランスポゾン社のM&AやIPOなどコーポレートアクションにより発生するマイルストーン収入

資金調達の過達により、2025年末の現預金は36億74百万円

2025年12月末の現預金残高は、36億74百万円と、2024年12月末対比12億63百万円の増加となった。これは第21回新株予約権による資金調達が順調に完了し、当初想定27億29百万円を上回る32億21百万円の調達が出来たことによる。また、テロメライシン®に関する前受金の一部として、販売会社より1億10百万円を受領している。

バランスシートのポイント

単位：百万円（百万円未満を半角切捨て）、主要科目のみ記載

| 資産の部 | 2024年12月末 | 2025年12月末 | 増減額 | 負債の部 | 2024年12月末 | 2025年12月末 | 増減額 |
|--------|-----------|-----------|-------|---------|-----------|-----------|--------|
| 現金及び預金 | 2,411 | 3,674 | 1,263 | 借入金合計 | 294 | 299 | 5 |
| 前払金 | 480 | 333 | △147 | 前受金 | - | 110 | 110 |
| 未収入金 | 102 | 302 | 200 | 負債合計 | 446 | 555 | 109 |
| 流動資産合計 | 3,098 | 4,494 | 1,396 | 資本金 | 5,108 | 4,366 | △742 |
| | | | | 資本剰余金 | 2,694 | 1,684 | △1,010 |
| | | | | 利益剰余金 | △5,057 | △2,058 | 2,999 |
| 固定資産合計 | 100 | 61 | △39 | 純資産合計 | 2,752 | 3,999 | 1,247 |
| 資産合計 | 3,198 | 4,555 | 1,357 | 負債純資産合計 | 3,198 | 4,555 | 1,357 |

(出所) オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026年2月

販売開始後も視野に入れた当面の費用は確保済みとみられる

「通常承認」となった場合、資金用途の変更予定

前述のように、12月末の現預金は36億74百万円であり、販売開始後も視野に入れた当面の資金、すなわち①安定供給体制を万全にする(=国内輸送・国際輸送での温度管理体制のシステム構築、加えて在庫切れを回避するため販売後3年間で10ロットほどの製造)ための費用、②テロメライシン®適応拡大のための試験や「食道がん局所療法研究会」の運営費用、③市販後の全例調査の費用に関し確保が進んでいる。また、第21回新株予約権による調達資金用途には、「期限及び条件付き承認」を想定した市販後臨床試験の費用が含まれているが、通常承認となった場合、市販後臨床試験は不要となるため、適応拡大へ用途変更される見込みである。

第21回新株予約権による調達の資金用途

| 具体的な用途 | 金額 (百万円) | 支出予定時期 |
|----------------------------------|----------|-----------------|
| ①OBP-301の販売開始後に必要な製造・販売・流通に関する支出 | 876 | 2026年1月～2027年6月 |
| ②OBP-301の初回承認以外への適応拡大に関する支出 | 767 | 2026年1月～2027年6月 |
| ③OBP-301の販売開始後に必要な製造販売後調査等に関する支出 | 1,086 | 2026年1月～2027年6月 |
| 合計 | 2,729 | - |

(出所) 第三者割当てによる第21回新株予約権の発行に関する補足資料 2025年7月

資金調達の選択肢を増やすため Debt による調達も実施

また、2026年2月には、みずほ銀行から4億4千万円の借入れを実行している。これは、調達の選択肢を増やす目的で実行されたもので、将来的には適応拡大等の資金の一部を株式市場だけに頼るのではなく、借入れで賄う可能性もある。

| | |
|--|--|
| <p>注目は、期限及び条件付き承認か通常承認か</p> | <p>Ⅲ まとめ</p> <p>2026 年はオンコリスバイオフーマにとって、第 1 号の上市品が誕生し、「製薬会社」としての歩みを始める記念すべき年になる。2026 年上半期中に、テロメライシン®が「通常承認」を獲得し、年後半に、高薬価での販売開始がベストシナリオとして期待される。「期限及び条件付き承認」になるのか、「通常承認」となるのかで、薬価の水準が大きく左右されるほか、市販後臨床試験の有無や日本での承認状況を様子見している海外の提携候補先の動向にも影響しよう。オンコリスバイオフーマでは、既に安定した生産・供給体制を確立しており、また、承認申請に用いた Pivotal 試験の結果も、市販後臨床試験として同規模の試験を繰り返す必要性を惹起しないと判断しており、通常承認を得られる可能性がある。現在は、通常承認に向けて、原価率の開示を向上させるようヘノジェン社に働きかけているところである</p> |
| <p>通常承認で高薬価を狙っている</p> <p>また承認獲得で海外での販売提携も動き出す</p> | <p>2026 年中には、下部直腸/肛門がんを適応症とする放射線併用療法の臨床試験 Phase2 が開始され、適応症拡大に向けた開発がスタートする予定である。咽頭がんへの効能拡大のための試験も始まる可能性がある。OBP-702 も岡山大学にて初めての臨床試験が開始される予定である。</p> |
| <p>適応拡大に向けた開発もスタート</p> | <p>OBP-601 に関しても、2026 年中に、PSP を適応症とした Phase3 試験及び ALS を対象とした Phase2/3 試験の開始とそれによるマイルストーンの受領が発生する見込みである。また、潜在市場の大きなアルツハイマー病(AD)を対象とした臨床試験も Phase2 も開始される可能性がある。このような進捗をみせているトランスポゾン社に対し、CNS 領域での M&A 候補を物色している大手製薬会社の注目が集まる可能性は高い。トランスポゾン社は、今後の資金調達について、IPO や M&A、ライセンスアウト契約等多くの選択肢が存在するとみられるが、いずれにせよ、そのコーポレートアクションに伴って、オンコリスバイオフーマに予想外のマイルストーン収入が発生することも忘れてはならない。</p> |
| <p>トランスポゾン社の資金調達もまもなく終了し、複数の Pivotal 試験が開始されるとマイルストーンが発生</p> | <p>このようなビジネスの進展を反映して、オンコリスバイオフーマの時価総額は 2026 年 2 月時点で 600 億円を超える水準まで拡大し、TOPIX の新規採用基準を上回ってきた。採否に関して 8 月の株価水準で判断されることとなるが、採用されれば 10 月から新 TOPIX に組み入れられる。そういった意味からも、2026 年はオンコリスバイオフーマにとって、記念すべき年となろう。</p> |
| <p>時価総額がこのまま推移すると TOPIX に採用される可能性が高い</p> | <p>(注) TOPIX 新規採用基準 浮動株時価総額が累積上位 96%に入ること及び年間売買回転率(20%以上)</p> |

2026年に期待されること

- | | | |
|---------|----|------------------------|
| OBP-301 | 1 | 製造販売承認 |
| | 2 | 薬価収載 |
| | 3 | テロメライシンの発売/サプライチェーンの完成 |
| | 4 | 18か月安定性試験のクリア |
| | 5 | 24か月安定性試験のクリア |
| | 6 | 効能拡大試験の開始 |
| | 7 | 新たな販売提携の締結 |
| OBP-601 | 8 | ピボタル試験の開始とマイルストーン受領 |
| | 9 | アルツハイマー病で新たな臨床試験を開始 |
| OBP-702 | 10 | 初めての臨床試験を開始 |
| | 11 | 医師主導臨床試験を継続するための製造開始 |

(出所)オンコリスバイオフーマ社事業説明会資料 2026年3月

フェアリサーチ株式会社

104-0033 中央区新川1-3-21 BIZ SMART 茅場町

メール: info@fair-research-inst.jp

ディスクレーマー

本レポートは、株式会社ティー・アイ・ダヴリュ（以下、発行者）が、「ANALYST NET」のブランド名（登録商標）で発行するレポートであり、外部の提携会社及びアナリストを主な執筆者として作成されたものです。

- 「ANALYST NET」のブランド名で発行されるレポートにおいては、対象となる企業について従来とは違ったアプローチによる紹介や解説を目的としております。発行者は原則、レポートに記載された内容に関してレビューならびに承認を行っておりません。
- 発行者は、本レポートを発行するための企画提案およびインフラストラクチャーの提供に関して対価を直接的または間接的に対象企業より得ている場合があります。
- 執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは、本レポートを作成する以外にも対象会社より直接的または間接的に対価を得ている場合があります。また、執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは対象会社の有価証券に対して何らかの取引を行っている可能性あるいは将来行う可能性があります。
- 本レポートは、投資判断の参考となる情報提供のみを目的として作成されたものであり、有価証券取引及びその他の取引の勧誘を目的とするものではありません。有価証券およびその他の取引に関する最終決定は投資家ご自身の判断と責任で行ってください。
- 本レポートの作成に当たり、執筆者は対象企業への取材等を通じて情報提供を受けておりますが、当レポートに記載された仮説や見解は当該企業によるものではなく、執筆者による分析・評価によるものです。
- 本レポートは、執筆者が信頼できると判断した情報に基づき記載されたものですが、その正確性、完全性または適時性を保証するものではありません。本レポートに記載された見解や予測は、本レポート発行時における執筆者の判断であり、予告無しに変更されることがあります。
- 本レポートに記載された情報もしくは分析に、投資家が依拠した結果として被る可能性のある直接的、間接的、付随的もしくは特別な損害に対して、発行者ならびに執筆者が何ら責任を負うものではありません。
- 本レポートの著作権は、原則として発行者に帰属します。本レポートにおいて提供される情報に関して、発行者の承諾を得ずに、当該情報の複製、販売、表示、配布、公表、修正、頒布または営利目的での利用を行うことは法律で禁じられております。