

オンコリスバイオフーマ株式会社

(4588 Growth)

発行日 2026 年 9 月 9 日

TOPIX 銘柄に採用へ

テロメライシン® 高薬価での上市と適応範囲の拡大

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 月に承認申請を行い、2026 年 6 月「**通常承認**」を取得した。これまでのところ、上場バイオテックが承認を得た再生医療等製品のなかで、「期限及び条件付き承認」ではなく、「通常承認」を取得したのはテロメライシン®のみである。8 月 12 日には、「先駆け加算」、「有用性加算」、「市場性(希少疾病)加算」の 3 つの加算が認められ、1 バイアル当たり約 310 万円という**高薬価**で保険適応となり、8 月 21 日から販売が開始された。さらに、当初想定していたステージⅡ及びⅢの患者のみならず、ステージにかかわらず、「**根治手術および化学照射線療法の適応とならない食道がん**」が対象となった。高齢者や心臓疾患のある手術不応患者や臓器障害のある化学療法不応患者に朗報である。**食道がん治療の「第三の選択肢」として位置付けることができる。**

テロメライシン® 効能拡大の方向性

下部直腸/肛門がんの場合、手術後に人工肛門となる割合が高く、QOL の面で課題となっているが、化学放射線療法へのテロメライシン®の上乗せにより、**肛門温存という局所完全寛解**が期待できる。2026 年 8 月 3 日、治験届(Ph1/2)が提出されており、まもなく最初の患者組み入れ(FPI)、そして 2027 年中には組み入れ完了の予定である。手術による病理検査の結果、十分な効果が見込めると期待できるようであれば、手術を伴わないプロトコルに変更して次のステージにステップアップする予定である。さらに、**喉頭がんでも、声帯の温存という局所効果を狙って、化学放射線療法にテロメライシン®を上乗せするプロトコルを整備しているところである。食道がんの分野でも、奏効患者を絞り込むためのバイオマーカーの探索や一次治療として主流になりつつある化学療法と免疫チェックポイント阻害剤の併用療法が奏功しなかった患者への適応**が注目される。また、日本での通常承認を受けて、海外への導出活動もステージアップしており、既に、**アジア圏の会社と条件交渉**に至っている。

TOPIX 採用銘柄へ

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。より安定した奏効を目指した**用量最適化試験**が成功すれば、以前より高い関心を示してきたメガファーマが動き出す可能性が高い。また、10 月末からオンコリスバイオフーマ社の株式が **TOPIX に採用**されることは確実と見込まれる。TOPIX 改革の一環として、対象市場が、プライム市場からスタンダード市場やグロース市場まで拡大され、2026 年 8 月末の選定基準(回転率と浮動株時価総額)で、TOPIX の採用銘柄の入れ替えが決定される。TOPIX に連動して運用されている資金規模は 11 兆円程度と言われており、流動性の向上が期待できる。

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
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	4,002 百万円
上 場 日	2013 年 12 月
U R L	www.oncolys.com
業 種	医薬品
従 業 員 数	45 人(単独)
主要指標 2026/9/8 現在	
株 価	5,450
52 週高値終値	5,450
52 週安値終値	605
発行済株式数	29,465 千株
売 買 単 位	100 株
時 価 総 額	160,588 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 P E R	NA 倍
実 績 B P S	110.91 円
実 績 P B R	49.14 倍

(注)EPS、PER、BPS、PBR は
自己株式数除く発行済株式数ベース。

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
2026/1-6 期実績	503	1,662.4	-767	NA	-760	NA	-762	NA	-26.3	3,295 1,362

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 6 月に承認を獲得し、8 月から販売を開始した

<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ィアを得た、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た。その後、2025 年 12 月に承認申請して 2026 年 6 月に承認を取得し、同年 8 月から販売を開始した。

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		先駆け指定/オーファンドラッグ指定			2026年6月承認
	胃がん		オーファンドラッグ指定			
	肝臓がん					
	下部直腸・肛門がん					
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			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 筋萎縮性側索硬化症

(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

2025 年 12 月 15 日、承認申請を行った

2026 年 6 月 8 日、「通常承認」を受領

8 月 13 日、高薬価で保険収載 21 日販売開始

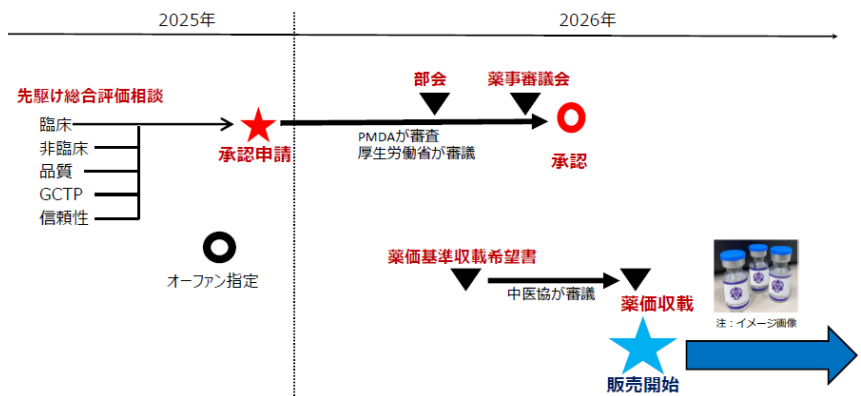
1.テロメライシン®(OBP-301)

(1)テロメライシン® 申請から国内承認取得・発売までの歩み

現在、テロメライシン®の主戦場は、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。

2025 年 12 月 15 日、オンコリスバイオファーマは、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。そして、2026 年 5 月、薬事審議会の再生医療等製品・生物由来技術部会での審議と答申を経て、遂に 2026 年 6 月 8 日、厚生省薬事審議会から「承認」を取得した。これまで、上場バイオテックが承認を得た再生医療等製品では「条件・期限付き承認」はあっても、「通常承認」された例はなかったが、テロメライシン®は「通常承認」を獲得できた。そして、8 月 13 日に、1 バイアル当たり約 310 万円という高薬価で保険収載されることが決定され、同月 21 日から販売が開始されている。

- 2025 年 12 月 15 日
- 先駆け審査指定下での承認申請提出
- 2026 年 5 月 21 日
- 再生医療等製品・生物由来技術部会での審議と答申
- 2026 年 6 月 8 日
- 厚生省の薬事審議会から「承認」を取得
- 「承認」と同時に、正式にオープン指定を獲得
- 2026 年 8 月 13 日
- 「薬価収載」と「保険適用」
- 2026 年 8 月 21 日
- 発売開始



(出所)オンコリスバイオファーマ会社説明会資料

オーファン指定も獲得済

また、2025 年 9 月 30 日に希少疾病用再生医療等製品（「オーファン」）指定申請を行い、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、承認と同時に正式にオーファン指定を獲得した。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した。

条件・期限付きではなく、通常の承認を得た再生医療等製品はテロメライシンが初めて

(2)通常承認の意義

これまで、再生医療等製品では「条件・期限付き承認」はあっても、「通常承認」された例はなかったが、テロメライシン®は「通常承認」を獲得できた。

「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、その市販後臨床試験の規模は統計的な分析に必要な 30 例ほどで、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、やや少ない規模となる。従って、わざわざ試験を繰り返す意義は見出しにくいと「通常承認」となったものと推察される。市販後の安全性調査は全例で行う必要はあるものの、新たに臨床試験を行う必要性がなくなったことのメリットは大きい。また、後述するように、有用性加算が認められるという薬価への好影響もあった。

通常承認なので、有用性加算が認められた

再生医療等製品の承認例（日本）

No.	会社名	製品名	承認日	承認条件
1	アンジェス	コラテジェン	2019年3月	条件及び期限付き
2	サンバイオ	アクーゴ	2024年7月	条件及び期限付き
3	クオリプス	リハート	2026年3月	条件及び期限付き
4	オンコリス	テロメライシン	2026年6月	通常

（出所）オンコリスバイオフーマ会社説明会資料 2026 年 8 月

原価計算方式ではなく、類似薬価参照方式で薬価が決定

(3)薬価について

薬価は、原価計算方式ではなく、類似薬既存の腫瘍溶解ウイルス製剤であるデリタクト®の薬価を参考して決定された。オンコリスバイオフーマでは、原価計算方式による薬価決定も想定していたが、原価に関する情報の交換は、当局とヘノジェン社が直接行うものであり、オンコリスバイオフーマが介入できるものではないので、最終的に類似薬価方式となった事情に関しては不明である。

デリタクトを参考に、3 つの

加算も加味されて、1 バイアル当たり約 310 万円に決定

さて、デリタクト®の場合、1 バイアル当たり約 143 万円だが、治療 1 クールあたり 6 回投与なので、治療 1 クールあたりの金額は約 858 万円である。ただし、143 万円の薬価は、先駆け加算(10%)と市場性(オーファン)加算(10%)も加えての薬価であるため、それを除くと、約 118 万円の薬価である。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 倍となり、約 236 万円となる。ただし、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」であるため、「市場性(オーファン)加算(Ⅰ)」「(10%)と「先駆け加算」(10%)に加え、「有用性加算」(10%)の加算も上乘せされた。この結果、テロメライシン®の薬価は、1 バイアル当たり約 310 万円となったものと推察される。

(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. 類似薬に比して、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. 類似薬に比して、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、類似薬に比して、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

(4)適応範囲

今回の承認で特筆すべき点は、承認申請に用いられた Pivotal 試験(OBP101JP 試験)で対象とされたステージⅡ・Ⅲの患者のみならず、すべてのステージでテロメライシン®の使用が可能となっていることである。添付文書では、「根治手術および化学照射線療法の適応とならない食道がん」が対象と記述されている。これにより、ステージⅠおよびⅣも対象となり得る。

例えば、ステージⅠでも高齢や心臓疾患などで根治手術が困難である場合や、食道の全周に広がっている場合、あるいは、腎臓・肝臓などの臓器障害で化学療法が困難な場合にはテロメライシン®の使用が可能である。また、手術や化学療法を希望しない症例でも投与可能である。ステージⅣで、食道が閉塞してしまっている場合でも、これまで放射線を使用したことが無ければ、食道閉塞を解消するために放射線と併用でテロメライシン®を使用することができる。

さらに、「免疫チェックポイント阻害剤＋化学療法」の遺残腫瘍も治療の対象となり得る。食道がんのファーストラインの治療として、免疫チェックポイント阻害剤と化学療法の併用が主流になりつつあるが、十分な効果が得られるのは全体の20～30%程度であるため、奏効しなかった例では他の治療法が必要である。ファ

ステージにかかわらず、手術不応および化学放射線療法不応な食道がんが対象となる

手術や化学療法を希望しない症例でも投与可能

免疫チェックポイント阻害剤と化学療法の併用が1次治療の主流となってきたが、奏効率は高くない奏効しなかった患者にテロ

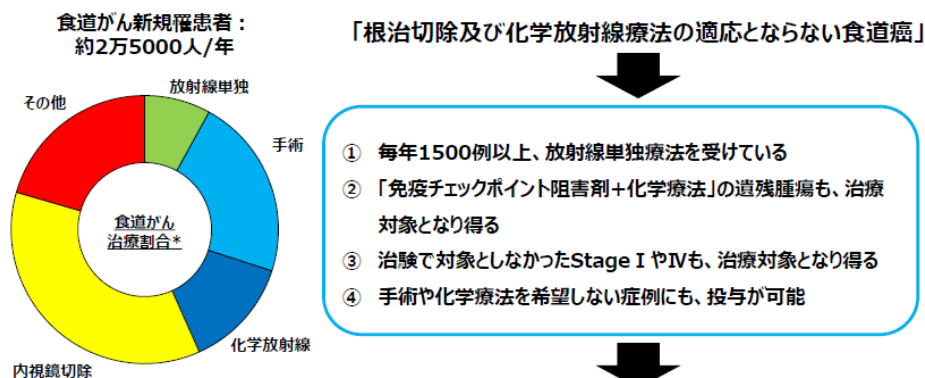
メライシンと放射線の併用療法を適応も

市場規模については、販売会社と精査中

ーラインで免疫チェックポイント阻害剤と化学療法の併用を実施し、まだ放射線を使用していなければ、テロメライシンと放射線の併用の適応の対象となる。

日本では、食道がんの新規罹患患者数は、年間約 2 万 5 千人とされている。このうち、7～10%が放射線単独で治療を受けていると言われている。（院内がん登録全国集計のデータ（2023 年）では、食道がんの場合、放射線単独療法の割合は 5%だが、このデータは拠点病院に限定されるため、リアルワールドのデータとは差異が生じていると考えられる。）市場規模については、オンコリスバイオファーマと販売会社である富士フイルム富山化学との間で詳細に検討中だが、2 万 5 千人の 7%で 1500 人程度、そのうち 1000 人程度が放射線とテロメライシンの併用を選択すれば、90 億円程度の市場が見えてくる。（310 万円/バイアル×3 バイアル×1000 人＝93 億円）

テロメライシン®の対象患者



販売予測を精査中だが、2030年までに黒字化を目指す

（出所）オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026 年 8 月

(5)テロメライシンの意義：「第三の選択肢」

テロメライシン®は、手術や化学放射線療法に代わる第三の選択肢をもたらす

- ①食道がんのステージにかかわらず使用できる
- ②食道閉塞状態の患者には放射線と併用して使用することが可能
- ③重篤な副作用はない/抗がん剤による副作用を回避できる
- ④長時間にわたる侵襲度の高い手術を回避/手術後の合併症を回避

前述のように、承認申請に用いられた Pivotal 試験(OBP101JP 試験)で対象とされたステージⅡ・Ⅲの患者のみならず、すべてのステージにかかわらずテロメライシン®の使用が可能となっている。例えば、ステージⅣで食道が閉塞してしまった患者でも、放射線治療歴の無い患者では、食道閉塞を解消するために使用することが可能である。また、主な副作用は、発熱とリンパ球の減少といったものであり、重篤な副作用は無い。ステージ限らず、腎臓・肝臓などの臓器障害で化学療法が難しい患者には、抗がん剤による重篤な副作用を回避できる治療法として適応される。さらに、高齢や心臓疾患などのため長時間にわたる根治手

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	術が難しい患者にも適応可能で、手術後の合併症も回避できる。 ⑤外来治療が可能
外来通院での治療も可能	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である。具体的には、ウイルスを投与された患者が出血した場合でも、絆創膏やティッシュをビニール袋に入れ、塩素系洗剤（ハイター等）を入れて密封し普通のゴミとして処理することが認められており、糞便中のウイルスも、塩素系洗剤を振りかけてトイレに流すことも許容されることで、外来治療が可能になっている。
未来を変える療法	上記の意義を踏まえると、手術・化学放射線療法に次ぐ「第三の選択肢」として食道がん治療の未来を変える療法になると言えよう。
サプライチェーンはほぼ完成	D.生産・供給体制 テロメライシンのサプライチェーンは完成し、安定した生産・供給体制の確立されている。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（スペシャリティ医薬品の流通を専門とするメディパルグループの SPLine 社の取引卸）を通じて医療機関に送られる。 サプライチェーンの完成  （出所）オンコリスバイオフーマ会社説明会資料 2026 年 8 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。販売開始を見据えた 2 回目も完了しており、3 回目の商用製造も 2026 年内に行われる。

（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ーマ 会社説明会資料 2025 年 2 月

製剤の問題もクリアし、同等性・同質性も確認済

② 製剤化

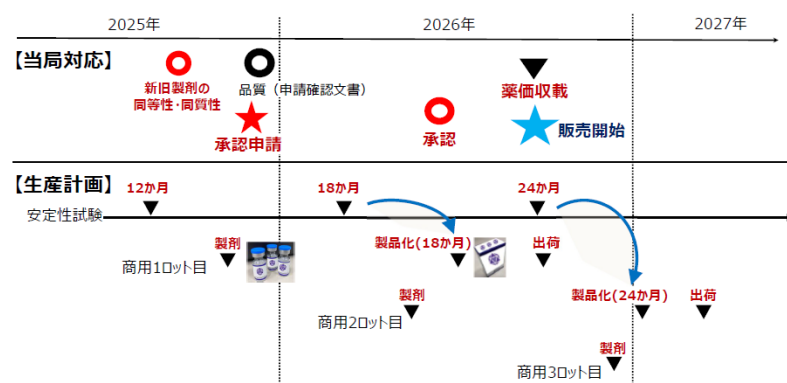
製剤化のバリデーション作業も完了している。異なるバッチ間での同等性については、オンコリスバイオフーマとして、米国 LONZA 社で製造した製剤とベルギーのヘノジェン社で製造した製剤を用いて確認済みである。バイアル中の濁りの原因であるウイルスの凝集を抑制するための新製剤（Buffer の成分変更）の開発も完了している。変更部分は既知の添加物であり、一般に広く使用されている物質である。新製剤と旧製剤の同等性・同質性については、2025 年 9 月、すべての試験項目で基準値の範囲であることが公表された。

安定性試験も 18 カ月まで
確認済

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

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 カ月安定性も確認した。さらに、2026 年中に 24 カ月安定性を確認し 2027 年には 36 カ月の安定性を確認することで、製剤の有効期間を延長させ、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。

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

2 ロット目は 2027 年出荷
予定

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 8 月から出荷している。商用 2 ロッ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

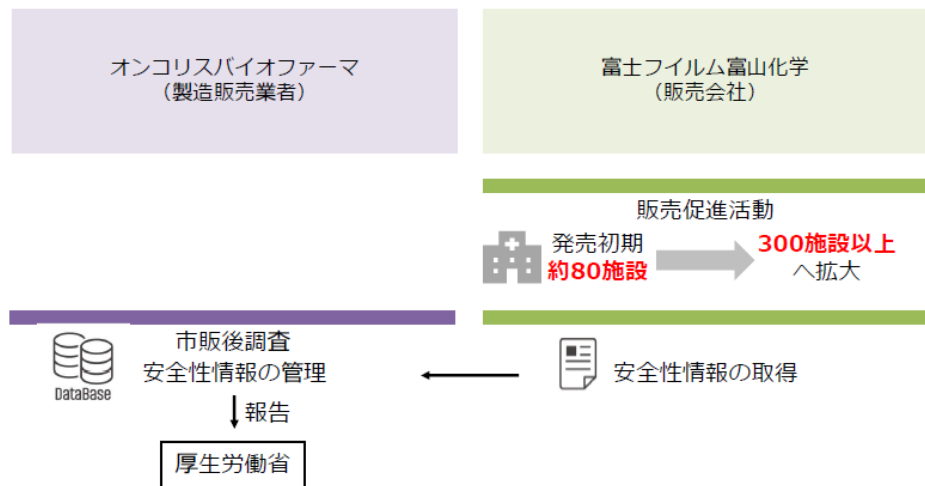
実際の販促活動は販社

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

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労省へ報告す

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 8 月

F.今後の開発の方向性

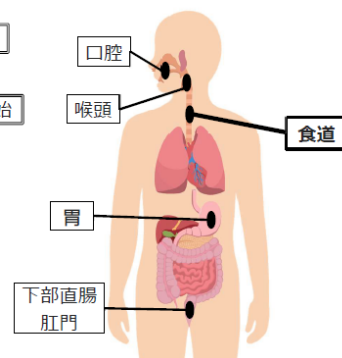
下部直腸/肛門がん及び
咽頭がんを計画

① 食道がん以外の適応拡大の方向性

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。後述するように、下部直腸・肛門がんの治験はスタート済である。

“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

声帯温存を目指した、局所
進行咽頭がんを対象とした
開発のprotocols整備中

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、現在、protocolsの整備中である。咽頭がんでは声帯を除去する手術を行うと声が出なくなる。声帯まで浸潤していないがんに対し、テロメライシンによる治療で声帯を温存することができることを目指している。年内遅くあるいは来年初の治験届の提出を計画している。オーファン指定も狙っている。

下部直腸/肛門がんでは人工肛門を造設に陥るケースが多い

人工肛門を回避できる治療法として意義は大きい

6 月に治験申請を提出

オーファン指定も取得する予定

<下部直腸/肛門がんへの効能拡大>

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。

オンコリスバイオファーマは、2026 年 6 月 3 日に治験申請（Ph1b/2a; jRCT2063260053; 症例数 10 例程度）を提出したことを公表した。この臨床試験は、術前化学放射線療法の対象となる下部直腸/肛門がん患者に対し、術前化学放射線療法とテロメライシン®を併用投与し、有効性と安全性を評価するものである。パイロット試験としての位置づけしているもので、全ての症例について手術による病理検査を行い、十分な効果が見込めると期待できるような割合で腫瘍の消失(pCR)を確認できれば、次のステップに進む計画である。次のステップは、手術を伴わないプロトコルへ変更し、10-15 例程度の治験を行う計画である。まもなく、最初の患者投与が行われる。オーファン指定も取得する予定で、2030 年までに承認を得る構想である。

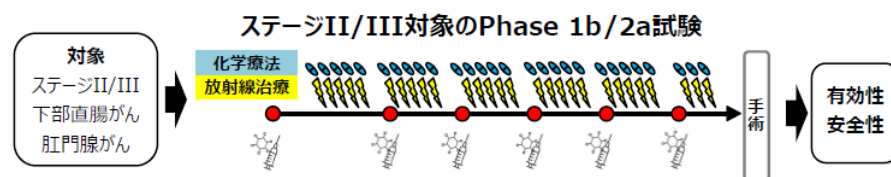
テロメライシン 下部直腸/肛門がんパイロット試験

術後人工肛門（ストーマ）によるQOL低下

- ① 排泄物の漏れによるおい
- ② 皮膚障害の負担
- ③ 衣服選択の制限
- ④ 外出の制限
- ⑤ 便宜やおならを我慢できない



人工肛門をなくして
QOLを維持する



（出所） オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026 年 8 月

（参考） 下部直腸/肛門がんにおける対象患者数（試算）

直腸がん	stageⅡ	7,810 例	院内がん登録症例集計2023年
	stageⅢ	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
うち肛門がんの比率		3%	大腸がん部位別比率
stageⅡ・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
肛門がんの永久人工肛門比率		100%	部位別肛門温存率
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

テロメライシン®が奏功しにくい患者を見分けるバイオマーカー探索へ

1 次治療の主流の変化に合わせ柔軟に開発方針を変更していくとみられる

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

（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

② 食道がん分野での深耕作戦

テロメライシン®と放射線併用療法の局所完全奏効率は 50.0%(OBP101JP 試験; 18 ヶ月)と放射線単独療法による局所完全奏効率(22%)を大きく上回るものであるが、逆の見方をすると、残り半分の割合で完全奏効しないとも言える。オンコリスバイオフーマでは、テロメライシン®と放射線併用療法が奏功しにくい患者の特性を分析し、有効性を判別するためのバイオマーカーの探索も計画している。有効なバイオマーカーが発見できれば、施術前に患者を絞り込むことが可能となる。

また、食道がんの 1 次治療の主流が、化学療法＋免疫チェックポイント阻害剤になりつつあることを踏まえ、化学放射線療法とテロメライシン®を併用する療法の開発よりも、化学療法＋免疫チェックポイント阻害剤で奏効しなかった患者に対する化学療法とテロメライシン®の併用療法を適応する方へ舵をきりつつある。モダリティの変化に合わせ柔軟に開発方針を変更していくようだ。

G. 知財戦略

オンコリスバイオフーマは、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。2026 年 5 月には、投与所要時間の限定を外して特許のカバー範囲を広げ、特許の保護範囲を拡張した。対象となるがん種は、**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。さらに 2026 年 5 月、欧州でも特許が査定を受け使用可能となっている。

“腫瘍溶解アデノウイルスの内視鏡投与に関する特許”

1. 特許存続期間：～**2040年5月14日**
2. **OBP-301に限らず、OBP-702も含まれる**
3. **他社の腫瘍溶解アデノウイルスの使用を制限できる**
4. 投与部位は**食道がんに限定されない。他のがん種も対象になる**

<各国の特許審査状況>

-  2025年に特許成立、2026年にカバー範囲を拡大
-  2026年に特許査定
-  特許審査中

（出所） オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2026 年 8 月

食道がん患者の多いアジアに注目

日本での承認データを活用できる

提携有望先は、にほんでの通常承認により様子見から条件交渉へ変化

アジアの次は英国に注目

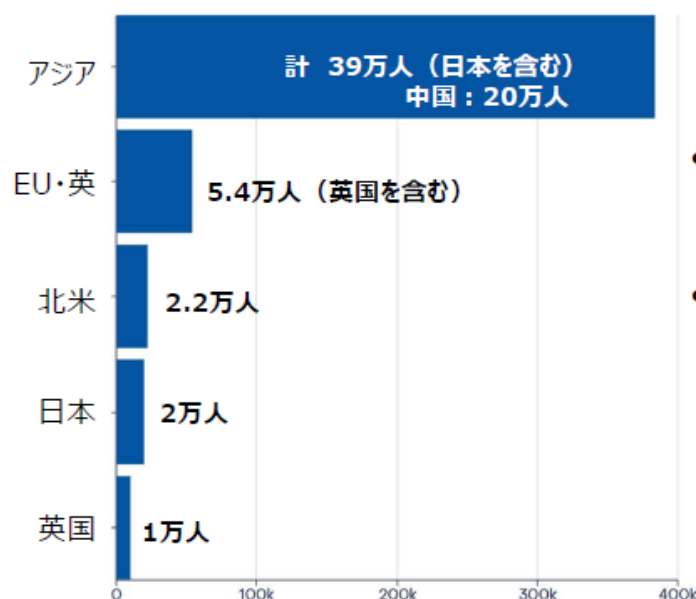
年内に少なくとも 1 社との提携を目指す

H. 海外展開の方向性

オンコリスバイオファーマでは、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、様子を見ていたが、日本で「通常承認」を獲得したことにより、条件交渉に至っている会社があるとのことである。ポイントは、日本の薬価をどの程度反映できるかであるようだ。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れば、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 会社説明会資料 2026 年 8 月

（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 オープン指定

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 療法の開発はオープン指定を獲得し、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 年内に 2 年生存率が判明する予定。

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。ただし、国内での食道がんを対象とした放射線との併用療法では、局所寛解率を主要評価項目として承認を取得したが、化学放射線療法は生存率を主要評価項目として承認を得ている。このため、Phase2 になると、2 年ないし 3 年での生存率のデータが要求され、症例数として各群 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。また、前述のように、現在では、化学療法に免疫チェックポイント阻害剤（オプジーボやキイトルーダ）を併用する療法が主流となりつつある。しかし、その奏効率は必ずしも高くない（ORR は 50%弱）。CRT 療法への併用療法よりも、化学療法と免疫チェックポイント阻害剤の併用が奏功しなかった例に、テロメライシンを用いることができないかを考える方の有用性が高まってきている。このような状況を背景に、現在、今後の進め方について、検討中である。

③ 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シン®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シン®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功しなかった 2 次治療患者が対象で、テロメライシン®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、開発を加速させている。主要評価項目は客観的奏効率 (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 例も奏功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。1st ステージは、2026 年年内に完了する予定である。

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 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 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	2. OBP-601 は Pivotal 試験開始へ 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。 現在、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)が挙げられている。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で神経変性が発生するという仮説である。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。 (用語解説) スプライシング、LINE-1 とは DNA にコードされた遺伝情報からタンパク質が合成されることを遺伝子の「発現」という。まず、DNA の塩基配列の情報をメッセンジャーRNA(mRNA)として写し取る「転写」が起こり、リボソームでアミノ酸が指定されて、タンパク質に「翻訳」される。DNA なかで、一つのタンパク質をコードしている部分をエクソンと呼び、無関係な配列(イントロン)と混在している。 DNA から mRNA が形成される過程で、最初に転写されるのは、mRNA 前駆体で、イントロンの部分も含む長い領域である。イントロンにはタンパク質を形成するには無関係な配列も含まれるので、スプライシングという編集過程を通じてエクソンのみの mRNA となる。これが、細胞質にあるリボソームに結合して、アミノ酸を指定し、タンパク質として「翻訳」される。 LINE-1 は、遺伝子の一部がスプライシングの過程で Copy&Paste され、挿入箇所が移動する“動く遺伝子”である。LINE-1 が神経炎症物質の生成を誘発し、神経変性疾患の原因になっていると考えられている。 2024 年に、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。
--	--

PSP 対象の試験結果は
2024 年 12 月に最終結果の
サマリーが公表されている

安全性に問題は無い

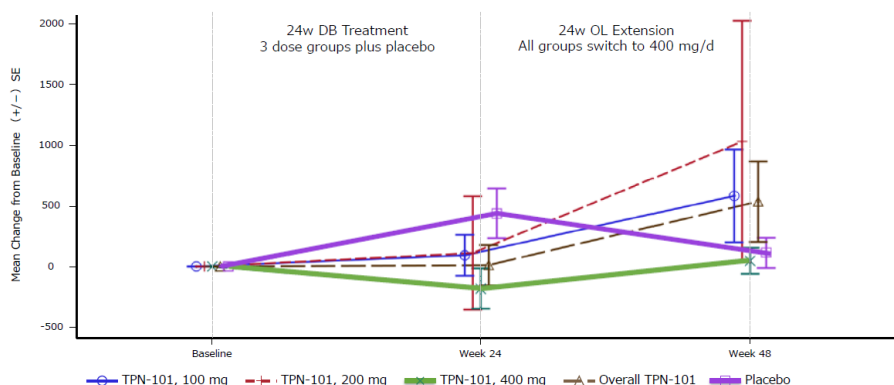
OBP-601 は脳脊髄液中の
NfL 値の上昇を抑制する

PSP(進行性核上性麻痺)を対象とした Ph2a 試験結果

進行性核上性麻痺(PSP:Progressive Supranuclear Palsy)を対象とした試験(治験番号:NCT04993768)は 3 用量(100mg,200mg,400mg)とプラセボの 4 群(各群 10 例の予定)で、2021 年 11 月に患者投与が始まり 2022 年 8 月に組み入れ(42 例)が終了した。2023 年 6 月に 24 週までの中間解析のデータ取得が完了し、2023 年 11 月 15 日、その中間結果のサマリーがトランスポゾン社から公表された。さらに、2023 年末、48 週までのデータ収集が完了し、2024 年 2 月 14 日、その最終結果のサマリーが公表されている。

① 経口での安全性に問題は無く、高い忍容性を確認

② OBP-601 は PSP 患者において脳脊髄液中の NfL 値の上昇を抑制することが確認された。(PSP 患者の脳脊髄液中の NfL 値は 1 年あたり9~18%上昇することが知られている。)24 週目までプラセボ投与し、その後 OBP-601 投与に切り替えた群(下図紫のライン)では、24 週目からの脳脊髄液中の NfL 値が低下した。また、48 週連続して OBP-601 を 400mg 投与した群(下図黄緑のライン)では NfL 値の上昇は認められなかった。



(出所) オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2024 年 8 月

(注)NfL とその重要性

NfL (Neurofilament Light:ニューロフィラメント軽鎖)は PSP やアルツハイマー病などタウたんぱく質の異常な凝集集積により神経原線維が変化する「タウオパチー」の主要なバイオマーカーである。

NfL は、神経系は神経細胞の骨格を形成する主成分であり、神経細胞の軸索に発現しているタンパク質である。神経細胞が炎症反応によって損傷されると、NfL が脳脊髄液(CSF)や血液に放出され、それを測定することで、病状を感知することが分かっている。血液中の NfL 値を検査することは比較的容易であるが、血液中の NfL 値は代謝などの影響を受けて変動する可能性があり、より確かな効果を測定するために

継続投与が病態の進行を抑制する

PSP は FDA の助言に基づいて Phase3 の準備は継続中

は、中枢神経系に直接接している脳脊髄液 (CSF) を検査することが必要である。今回、脳脊髄液 (CSF) 中の NfL 値を測定し、低減効果が確認されたことは重要なエビデンスとなる。

バイोजェン社の筋萎縮性側索硬化症 (SOD1 変異型 ALS) 治療薬のトルフェルセン (Tofersen) の場合、臨床機能の改善に基づいた主要有効性評価項目が達成されなかったものの、NfL 値の減少に基づいて迅速承認が取得できている (2023 年)。

③ 疾患の重症度と関連する炎症性神経炎のバイオマーカーである IL-6 及びオステオポンチンを OBP-601 が用量依存的に低下させることが確認された。

(注) オステオポンチン

骨芽細胞から分泌されるホルモンの一種で、造血幹細胞の機能保全や全身の免疫活性化に寄与するが、必要以上に上昇すると、慢性炎症を引き起こし、逆に老化の原因となると考えられている。アルツハイマー病の認知機能低下と関連していることが知られている。

④PSP 患者の臨床スケールである PSP Rating Scale (PSPRS) を検討した結果、OBP-601 の 48 週投与群では、24 週以上投与したところで臨床症状が安定化する。一方 24 週までプラセボ投与で、24 週後に OBP-601 に切り替えられた投与群では、24 週から 48 週の間でも PSPRS の悪化が認められたことから、継続投与が病態の進行を抑制する効果があると示唆される。

オンコリスバイオファーマでは、トフェルセンの承認ケースを例に挙げ、

***NfL 値の低下が、臨床的ベネフィットを予測するのに合理的に妥当と、当局とのコンセンサスが得られたこと**

***バイオマーカーが臨床効果の予測因子と判断され、患者にとってリスクよりも臨床的利益が上回ることが合理的に予測できる場合、より早く治療を提供するために迅速承認が支持されたこと**

の 2 点が重要な示唆であると考えている。

また、トランスポゾン社では、中間解析後の 2024 年 5 月に FDA より Fast Track 指定を受けている。

<今後の展開>

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。

2026 年中に開発資金の工面がつきそうで、資金調達完了とともに Phase3 開始予定

メガファーマは用量最適化試験に注目している

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 2026 年末～2027 年前半に開始する予定

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が、500 万ドルでは不十分

Phase2 の開始はまだ先になりそう

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 20～30 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、Lead Investor が決定し、2026 年中には、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。

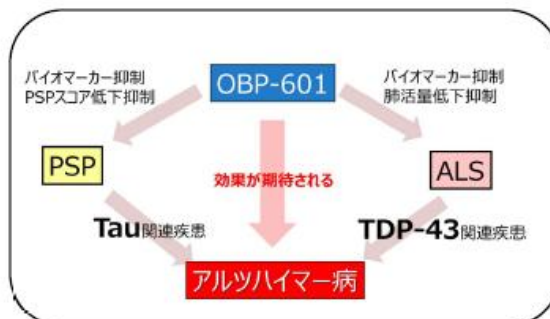
メガファーマもこの開発に関して大いなる関心を抱いている。ただし、48 週連続して OBP-601 を 400mg 投与した群で、NfL 値の上昇は認められなかったものの症例ごとのバラつきが大きく、全体として NfL 値が低下しなかった点を指摘する意見もある。より明確な奏効を目指して、用量最適化試験 (最大用量を 800mg とする可能性) を計画している。

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 年末～2027 年前半に開始する予定で、開始時期を現在ヒーリー側と調整が続いている。

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 2025 年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、500 万ドルでは試験のスタートは可能だが完遂までには不足する。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も必要で、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ァーマ 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。既に、米国の多数の研究施設でこの資金を活用した OBP-601 の抗加齢効果に関する研究が始まっている。

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ァーマにも相応の収入

PSP や ALS の Pivotal 試験開始により、マイルストーンも発生する

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、パートナーリ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ァーマにも相応の収入がもたらされることを忘れてはいけない。加えて、PSP や ALS の Pivotal 試験開始により、オンコリスバイオファーマにマイルストーンがもたらされることにも留意したい。



（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

（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	Zuruvae	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ァーマ 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)

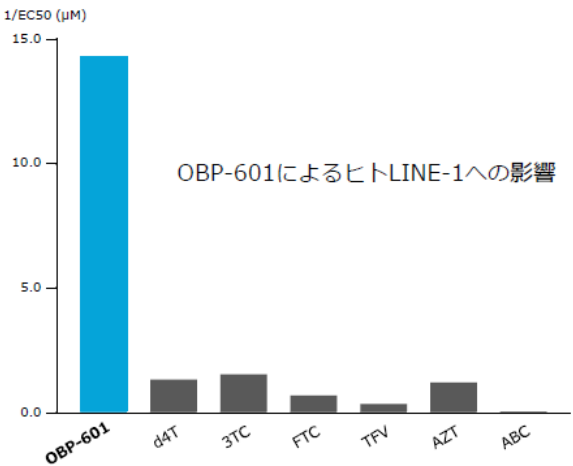
例 2:Emtricitabine, ブラウン大学 Phase1(NCT04500847)途上 医師主導治験

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

（ア） 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



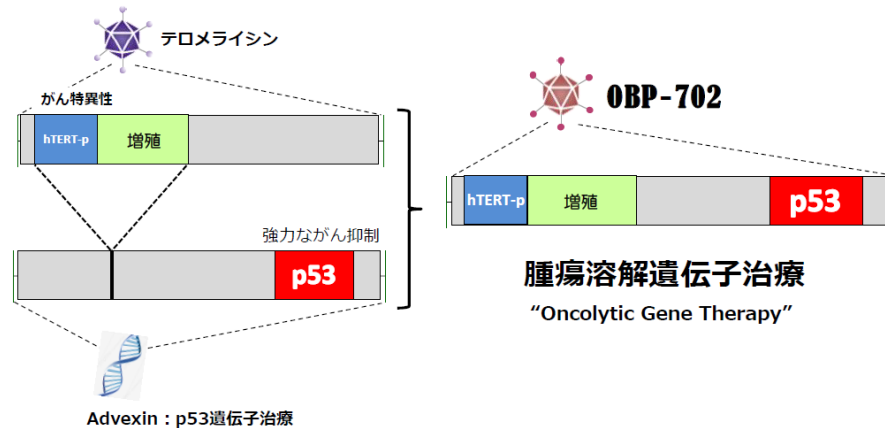
（出所） オンコリスバイオファーマ 事業計画及び成長性に関する事項 2025 年 3 月

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

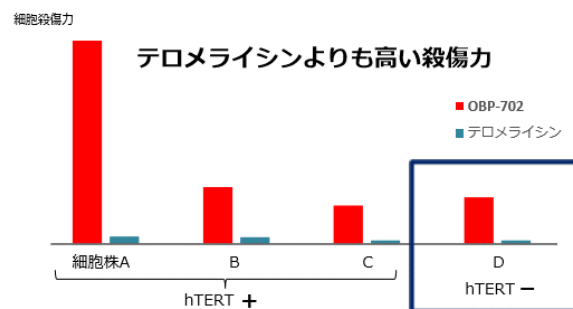


(出所)オンコリスバイオファーマ

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・変異がんにも有効

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・変異がんにも有効

KRAS 遺伝子変異がんでも有効

がん関連線維芽細胞 (CAF) も攻撃

2026 年、初めての臨床試験が開始予定

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。

③ がん関連線維芽細胞 (CAF) に対する攻撃

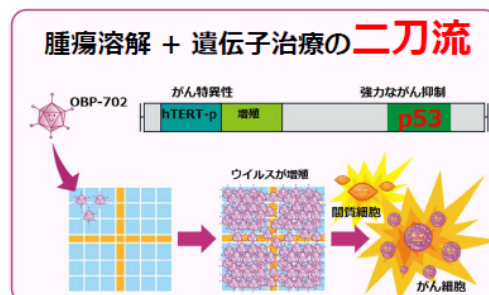
CAF (Cancer Associated Fibroblast) は間質として、抗がん剤や免疫チェックポイント阻害剤が、がん細胞を攻撃するのを妨げる性質がある。すい臓がん等で特に問題視されるポイントである。CAF ではテロメラーゼの活性も低く、テロメラシン®も奏功しにくい。OBP-702 が、テロメラーゼ非依存的に p53 を放出し、p53 が CAF を攻撃し、CAF が抗がん剤や免疫チェックポイント阻害剤の働きを抑制するのを除外する作用をすると考えられる。

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。ステージⅢおよびⅣの患者を対象に OBP-702 を 2 回ほど内視鏡下で投与する予定だが、現在、PMDA とプロトコルの詳細部分や製剤の CMC に関して協議中である。

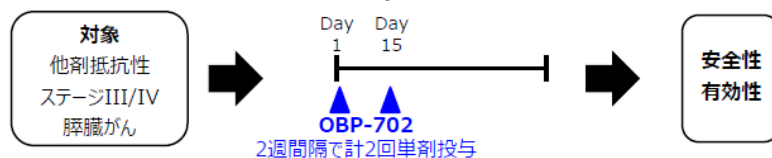
OBP-702 医師主導治験 (Phase1)

OBP-702 の作用

1. 膵臓がんへの直接腫瘍溶解作用
2. p53 遺伝子導入による間質細胞 (CAF: Cancer Associated Fibroblast) への作用



他剤抵抗性・ステージⅢ/Ⅳ対象の Phase 1 試験



(出所) オンコリスバイオファーマ 会社説明会資料 2026 年 8 月

II 2026 年 1-6 月期決算とファイナンス

2026 年上期はテロメライシンの販売承認によるマイルストーン収入が発生

テロメライシンの臨床開発の終了で経費も減少

赤字幅は大幅に縮小

2026 年 1-6 月期の売上は 5 億 3 百万円であり、前年同期の 28 百万円から 4 億 75 百万円増加した。この増収の主因は、テロメライシン(OBP-301)の製造販売承認に伴、販売会社からのマイルストーン収入によるものと推察される。また、営業損失は 7 億 67 百万円となり、前年の 12 億 67 百万円から 5 億円ほど縮小している。これは、増収に加え、テロメライシン®の臨床開発の終了に伴い、2026 年 1-6 の研究開発費が 7 億 66 百万円と、前年同期より 2 億 51 百万円ほど減少し費用全体も削減されたことも寄与している。経常損失は、営業損失の縮小に加え、円安による為替差益のため前年同期比 5 億 51 百万円ほど縮小し、7 億 60 百万円の損失となった。結果として、当期純利益は 7 億 62 百万円の赤字となっている。

2026 年 1-6 月期 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）

	2025年 1-6月	2026年 1-6月	増減額	主な要因
売上高	28	503	475	製造販売承認に伴うマイルストーン収入を得た。
営業利益	△1,267	△767	500	OBP-301製法開発費用が減少し、研究開発費が251百万円減少。 研究開発費 1,017百万円（2025年上半期） ⇒ 766百万円（2026年上半期）
経常利益	△1,311	△760	551	営業損失の圧縮に加えて、為替差益などが発生した。
当期純利益	△1,313	△762	551	上記の要因により、当期純損失は前年同期比で551百万円改善した。

（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2026 年 8 月

OBP-301 の販売予測を販売会社と精査中のため

2026 年の売上収益予想は未定

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

- ① OBP-301 の販売予測を販売会社と精査中
- ② OBP-301 のマイルストーン収入（海外での承認に伴うもの）
- ③ OBP-601 の開発イベント達成（PSP や ALS での pivotal 試験開始）
- ④ 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

承認に伴うマイルストーン
の受領が 7 月となった一方、みずほ銀行からの借り入れにより、2026 年 6 月末の現預金は 31 億 86 百万円の水準

2026 年 6 月末の現預金残高は、31 億 86 百万円と、2024 年 12 月末対比 4 億 88 百万円の減少となった。2026 年 1-6 月期の当期純損失は改善したが、売上として計上されたマイルストーン収入は、6 月末時点では売掛金として計上され、入金されていない（7 月に受領）。このため、営業キャッシュフローは前年同期と同水準の 10 億 17 百万円の流出となる一方、みずほ銀行からの借り入れ等により 4 億 96 百万円を調達した結果、現預金水準が 12 月末対比 4 億 88 百

万円減少となっている。なお、3 月の株主総会の決議を経て、資本金および資本剰余金を減額し、利益剰余金の欠損を補填したため、これらの項目に変動が生じている。

バランスシートのポイント

単位：百万円（百万円未満を半端切捨て）

	2025年 1-6月	2026年 1-6月	増減額	主な要因
期首の現金同等物	2,165	3,429	-	-
営業CF	△1,037	△1,017	20	売上債権が増加したが、当期純損失が改善したため、営業CFは前年同期と同水準を維持した。
投資CF	△5	31	36	-
財務CF	42	496	454	みずほ銀行からの借入により、財務CFが大幅に増加した。
換算差額	△23	1	24	-
CF合計	△1,023	△487	536	みずほ銀行借入による財務CFの改善が、CF合計の改善に寄与した。
中間末の現金同等物	1,142	2,941	1,799	期首cash水準上昇と財務CF改善で、中間期末cash水準は上昇した。

（出所）オンコリスバイオフーマ 会社説明会資料 2026 年 2 月

販売開始後の当面の費用は確保済みとみられる

前述のように、6 月末の現預金は 31 億 86 百万円であり、販売開始後の当面の資金、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・維持、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、十分な水準を確保していると思込まれる。

「通常承認」と高薬価を獲得 アジア圏の会社とは、既に条件交渉 承認された適応範囲もステージにかかわらず、「根治手術および化学照射線療法の適応とならない食道がん」に拡大 一次治療として主流になってきている免疫チェックポイント阻害剤を用いた療法で奏効しなかった例にも適応へ 下部直腸/肛門がん対象とした試験も開始咽頭がん対象の開発、すい臓がんを対象とする OBP-702 の試験も予定 OBP-601 の PSP を対象とした Pivotal 試験も年内の資金調達完了とともに開始予定 より安定した効果を示すための用量最適化試験にメガファーマが注目	Ⅲ まとめ 2026 年はオンコリスバイオファーマにとって、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った。2026 年上半期中に、テロメライシン®が「通常承認」を獲得し、8 月 21 日から、1 バイアル当たり約 310 万円という高薬価で販売が開始されるというベストシナリオが実現した。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好影響をもたらし、アジア圏の会社とは、既に条件交渉に入っている。 承認された適応範囲も、「根治手術および化学照射線療法の適応とならない食道がん」となり、ステージⅡおよびⅢに限定されていない。ステージⅠでも高齢や心臓疾患などで根治手術が困難である場合や、食道の全周に広がっている場合、あるいは、腎臓・肝臓などの臓器障害で化学療法が困難な場合にはテロメライシン®の使用が可能である。また、手術や化学療法を希望しない症例でも投与可能である。ステージⅣで、食道が閉塞してしまっている場合でも、これまで放射線を使用したことが無ければ、食道閉塞を解消するために放射線と併用でテロメライシン®を使用することができる。 また、食道がんのファーストラインの治療として、免疫チェックポイント阻害剤と化学療法の併用が主流になりつつあるが、十分な効果が得られるのは全体の 20～30%程度と言われている。ファーストラインで免疫チェックポイント阻害剤と化学療法の併用療法を行ったものの、効果が十分ではなかった症例では、放射線の照射歴が無ければ、テロメライシンと放射線の併用療法の対象となる点は注目に値する。 さらに 2026 年 6 月に、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 Phase1b/2a が開始され、食道がん以外への効能拡大に向けた開発がスタートした。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。 OBP-601 に関しても、2026 年中に、PSP を適応症とした Phase3 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可能性がある。また、C9-ALS を対象とした Pivotal 試験も開始に近づいている。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は依然として高く、より安定した効果を示すための用量最適化試験が計画されている。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ァ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。
---	---

時価総額は 2026 年 8 月時点で 1370 億円を超える水準まで拡大

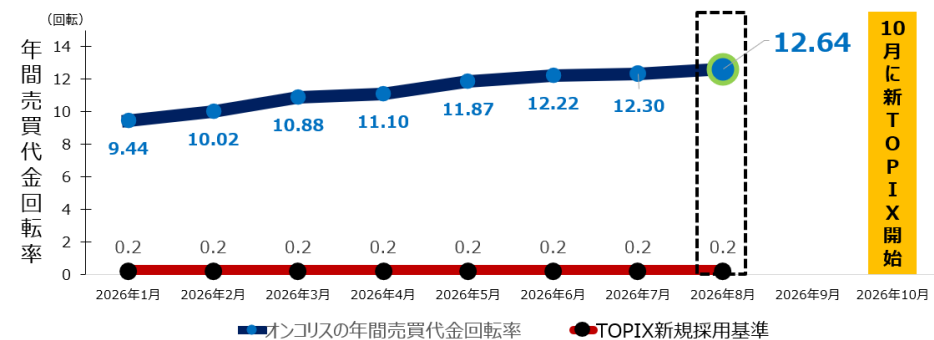
10 月から TOPIX に採用される公算が高い

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 8 月時点で 1370 億円を超える水準まで拡大している。採否に関して、売買回転率と 8 月の浮動株時価総額の相対比較で判断されるが、下図のように、TOPIX の新規採用基準を上回っており、10 月から新 TOPIX に組み入れられる公算が高い。（TOPIX に連動して運用される資金は 11 兆円ほど存在すると言われ、採用されれば、オンコリスバイオフーマ株式の流動性に好影響をもたらす可能性がある。）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、記念すべき年となっている。

TOPIX 新規採用基準をクリア

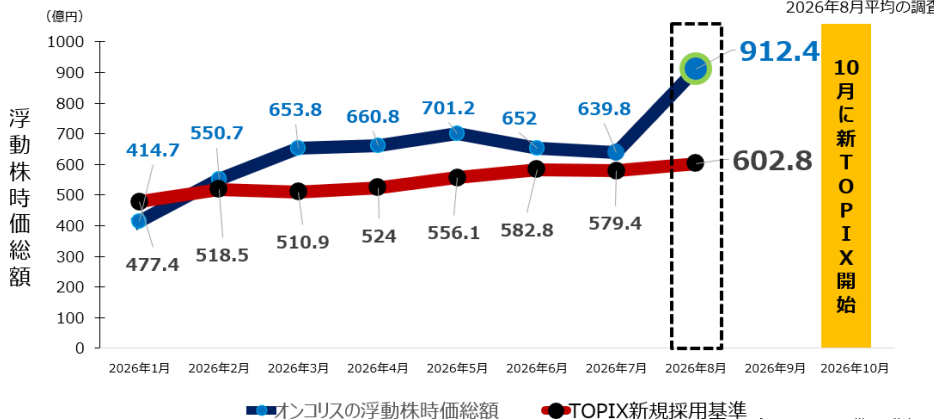
① 年間売買代金回転率基準：0.2 以上

2026年8月平均の調査



② 浮動株時価総額基準の累積比率：上位 96%以内

2026年8月平均の調査



（出所） SMBC 日興証券資料からオンコリスバイオフーマ作成

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。