

平成26年3月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

平成25年11月1日

上場取引所 東

上場会社名 オンコセラピー・サイエンス株式会社  
 コード番号 4564 URL <http://www.oncotherapy.co.jp>

代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 角田 卓也  
 問合せ先責任者 (役職名) 取締役管理本部長 (氏名) 山本 和男

TEL 044-820-8251

四半期報告書提出予定日 平成25年11月5日

配当支払開始予定日 —

四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無

四半期決算説明会開催の有無 : 有 (アナリスト向け)

(百万円未満切捨て)

1. 平成26年3月期第2四半期の連結業績(平成25年4月1日～平成25年9月30日)

(1) 連結経営成績(累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
26年3月期第2四半期	333	△70.5	△2,084	—	△2,075	—	△2,014	—
25年3月期第2四半期	1,131	15.7	△1,125	—	△1,117	—	△1,119	—

(注) 包括利益 26年3月期第2四半期 △2,028百万円 (—%) 25年3月期第2四半期 △1,130百万円 (—%)

	1株当たり四半期純利益	潜在株式調整後1株当たり四半期純利益
	円 銭	円 銭
26年3月期第2四半期	△17.66	—
25年3月期第2四半期	△10.40	—

平成25年10月1日付けで普通株式1株につき普通株式500株の割合で株式分割を行っております。前連結会計年度の期首に当該株式分割が行われたと仮定して1株当たり四半期純利益を算定しております。

(2) 連結財政状態

	総資産		純資産		自己資本比率	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%
26年3月期第2四半期	20,376	—	19,363	—	—	90.2
25年3月期	11,543	—	10,357	—	—	81.3

(参考) 自己資本 26年3月期第2四半期 18,383百万円 25年3月期 9,386百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
25年3月期	—	—	—	0.00	0.00
26年3月期	—	—	—	—	—
26年3月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

3. 平成26年3月期の連結業績予想(平成25年4月1日～平成26年3月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益		1株当たり当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	4,756	45.1	324	—	324	—	271	—	2.08

(注) 直近に公表されている業績予想からの修正の有無 : 無

平成25年10月1日付けで普通株式1株につき普通株式500株の割合で株式分割を行っております。これに伴い、業績予想の1株当たり当期純利益については、当該株式分割の影響を考慮して記載しております。

※ 注記事項

- (1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動(連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動) : 無  
新規 — 社 (社名) 、 除外 — 社 (社名)
- (2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無
- (3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示  
① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 無  
② ①以外の会計方針の変更 : 無  
③ 会計上の見積りの変更 : 無  
④ 修正再表示 : 無

(4) 発行済株式数(普通株式)

① 期末発行済株式数(自己株式を含む)	26年3月期2Q	146,738,000 株	25年3月期	108,144,000 株
② 期末自己株式数	26年3月期2Q	— 株	25年3月期	— 株
③ 期中平均株式数(四半期累計)	26年3月期2Q	114,074,672 株	25年3月期2Q	107,619,885 株

平成25年10月1日付けで普通株式1株につき普通株式500株の割合で株式分割を行っております。前連結会計年度の期首に当該株式分割が行われたと仮定して、期末発行済株式数、期末自己株式数、期中平均株式数を算定しております。

※四半期レビュー手続の実施状況に関する表示

・この四半期決算短信は、金融商品取引法に基づく四半期レビュー手続の対象外ですが、この四半期決算短信の開示時点において、金融商品取引法に基づく四半期財務諸表のレビュー手続は終了しております。

※業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

・本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P2「連結業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

・当社は、平成25年11月18日にアナリスト向け説明会を開催する予定です。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報 .....	2
(1) 経営成績に関する説明 .....	2
(2) 財政状態に関する説明 .....	2
(3) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明 .....	2
2. 四半期連結財務諸表 .....	4
(1) 四半期連結貸借対照表 .....	4
(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書 .....	6
四半期連結損益計算書 .....	6
四半期連結包括利益計算書 .....	7
(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書 .....	8
(4) 四半期連結財務諸表に関する注記事項 .....	9
継続企業の前提に関する注記 .....	9
株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記 .....	9
重要な後発事象 .....	9
3. 補足情報 .....	10
(1) 研究開発活動 .....	10

## 1. 当四半期決算に関する定性的情報

### (1) 経営成績に関する説明

当第2四半期連結累計期間における連結事業収益につきましては、提携先製薬企業からの開発協力金などの受領により、333百万円（前年同四半期比 798百万円の減少）となりました。

また、医薬品候補物質等の基礎研究、創薬研究の実施、及び当社グループ独自での臨床開発の継続的な推進及び進展により、連結営業損失は2,084百万円（前年同四半期比 959百万円の増加）、連結経常損失は2,075百万円（同 957百万円の増加）、連結四半期純損失は2,014百万円（同 895百万円の増加）となりました。

### (2) 財政状態に関する説明

当第2四半期連結会計期間の総資産は、20,376百万円（前連結会計年度末比 8,833百万円増加）となりました。流動資産は19,925百万円（同 8,862百万円増加）、これは、現金及び預金が前連結会計年度末と比べて10,517百万円増加した一方、売掛金が1,318百万円減少したことが主な要因となっております。固定資産は、451百万円（同 29百万円減少）となっております。

負債は、1,012百万円（前連結会計年度末比 173百万円減少）となりました。流動負債は、801百万円（同 200百万円減少）、これは、前連結会計年度末と比べて未払金が82百万円、前受金が99百万円減少したことが主な要因となっております。固定負債は211百万円（同 27百万円増加）となっております。

純資産は19,363百万円（前連結会計年度末比 9,006百万円増加）となりました。これは、利益剰余金が前連結会計年度末と比べて2,014百万円減少した一方、公募増資及び第三者割当増資による普通株式発行等により、資本金が5,508百万円、資本剰余金が5,508百万円増加したことが主な要因となっております。

当第2四半期連結累計期間における現金及び現金同等物（以下「資金」という。）は、19,014百万円（前第2四半期連結累計期間比 9,338百万円増加）となりました。

当第2四半期連結累計期間における営業活動によるキャッシュ・フローは、479百万円の資金の減少（前第2四半期連結累計期間は752百万円の増加）となりました。これは、税金等調整前四半期純損失2,037百万円を計上した一方、売上債権の減少による資金の増加1,318百万円が主な要因となっております。

当第2四半期連結累計期間における投資活動によるキャッシュ・フローは、20百万円の資金の減少（同 32百万円の減少）となりました。これは有形固定資産の取得による支出の3百万円、無形固定資産の取得による支出17百万円が要因となっております。

当第2四半期連結累計期間における財務活動によるキャッシュ・フローは、11,017百万円の資金の増加（同 15百万円の増加）となりました。これは主に、公募増資及び第三者割当増資による普通株式発行の収入ならびに新株予約権の行使による普通株式発行の収入11,017百万円によるものです。

### (3) 連結業績予想などの将来予測情報に関する説明

当社グループの今期の見通しにつきましては、がん関連遺伝子の機能解析、がんワクチン、低分子医薬、抗体医薬、核酸医薬等の創薬研究を更に進展させるとともに、当社グループ独自で実施中の承認申請を目指した膵臓がんに対するがんペプチドカクテルワクチン療法剤C01の第Ⅲ相臨床試験（COMPETE-PC Study）、胃がんに対する治療用カクテルワクチンOTSGC-A24の第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験（シンガポール、日本、韓国にて実施）、がん治療用抗体医薬OTSA101の第Ⅰ相臨床試験（フランスにて実施）、がん幹細

胞を標的とした新規低分子化合物OTS167の第I相臨床試験（米国にて実施）、臨床開発を決定した新規キナーゼを標的とする高活性医薬品候補低分子化合物OTS964等の開発パイプライン、および提携先製薬企業と共同で実施中の開発パイプラインを推進させてまいります。また、臨床試験開始に向けて非臨床試験を実施中、または準備中の複数の医薬品候補物質につきましても臨床試験の早期開始に向けて努めてまいります。

このような研究開発の進展にともない、事業収益としては、提携先製薬企業からの契約一時金、マイルストーン、開発協力金、研究協力金等の受領を見込んでおり、研究開発費につきましては、創薬研究および各開発パイプラインの進展に伴い発生する費用を見込んでおります。

平成26年3月期の業績予想につきましては、当初の予想通りに推移すると見込んでおり、平成25年5月15日に開示しております業績予想に変更はございません。

2. 四半期連結財務諸表  
 (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (平成25年3月31日)	当第2四半期連結会計期間 (平成25年9月30日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	8,497,065	19,014,724
売掛金	1,356,530	38,174
原材料及び貯蔵品	26,038	22,889
前渡金	764,651	649,747
未収還付法人税等	252,505	—
その他	166,523	200,507
貸倒引当金	△634	△634
流動資産合計	11,062,680	19,925,408
固定資産		
有形固定資産		
建物	364,055	364,195
減価償却累計額	△144,530	△157,067
建物(純額)	219,525	207,127
機械及び装置	141,704	141,704
減価償却累計額	△124,405	△126,400
機械及び装置(純額)	17,298	15,303
工具、器具及び備品	602,957	603,610
減価償却累計額	△534,223	△546,847
工具、器具及び備品(純額)	68,733	56,762
有形固定資産合計	305,556	279,194
無形固定資産		
特許権	100,967	93,166
ソフトウェア	8,403	12,175
その他	72	72
無形固定資産合計	109,443	105,415
投資その他の資産		
投資有価証券	0	0
長期前払費用	642	1,843
差入保証金	65,172	64,739
投資その他の資産合計	65,815	66,583
固定資産合計	480,815	451,193
資産合計	11,543,496	20,376,601

(単位：千円)

	前連結会計年度 (平成25年3月31日)	当第2四半期連結会計期間 (平成25年9月30日)
<b>負債の部</b>		
流動負債		
未払金	318,723	235,769
前受金	623,646	524,434
未払法人税等	13,053	20,533
その他	46,651	20,815
流動負債合計	1,002,075	801,552
固定負債		
繰延税金負債	22,603	20,736
資産除去債務	81,548	82,345
その他	79,548	107,988
固定負債合計	183,699	211,070
負債合計	1,185,775	1,012,623
<b>純資産の部</b>		
株主資本		
資本金	3,573,967	9,082,678
資本剰余金	6,539,189	12,047,900
利益剰余金	△725,968	△2,740,613
株主資本合計	9,387,188	18,389,965
その他の包括利益累計額		
為替換算調整勘定	△637	△6,018
その他の包括利益累計額合計	△637	△6,018
新株予約権	884,519	901,851
少数株主持分	86,650	78,178
純資産合計	10,357,720	19,363,978
負債純資産合計	11,543,496	20,376,601

(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書  
 四半期連結損益計算書  
 第2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年4月1日 至平成24年9月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年4月1日 至平成25年9月30日)
事業収益	1,131,738	333,702
事業費用		
研究開発費	2,124,595	2,236,228
販売費及び一般管理費	132,335	182,400
事業費用合計	2,256,930	2,418,628
営業損失(△)	△1,125,192	△2,084,926
営業外収益		
為替差益	1,190	2,606
助成金収入	1,000	750
持分法による投資利益	5,867	—
還付加算金	—	8,803
その他	6	0
営業外収益合計	8,064	12,159
営業外費用		
リース解約損	—	2,322
営業外費用合計	—	2,322
経常損失(△)	△1,117,127	△2,075,089
特別利益		
新株予約権戻入益	2,181	37,660
特別利益合計	2,181	37,660
特別損失		
固定資産除却損	19,307	—
特別損失合計	19,307	—
税金等調整前四半期純損失(△)	△1,134,253	△2,037,428
法人税、住民税及び事業税	2,123	2,090
法人税等還付税額	—	△14,535
法人税等調整額	△2,585	△1,867
法人税等合計	△462	△14,311
少数株主損益調整前四半期純損失(△)	△1,133,791	△2,023,116
少数株主損失(△)	△14,429	△8,471
四半期純損失(△)	△1,119,361	△2,014,645

四半期連結包括利益計算書  
第2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年4月1日 至平成24年9月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年4月1日 至平成25年9月30日)
少数株主損益調整前四半期純損失(△)	△1,133,791	△2,023,116
その他の包括利益		
為替換算調整勘定	3,766	△5,380
その他の包括利益合計	3,766	△5,380
四半期包括利益	△1,130,024	△2,028,497
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△1,115,594	△2,020,025
少数株主に係る四半期包括利益	△14,429	△8,471

(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年4月1日 至平成24年9月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年4月1日 至平成25年9月30日)
<b>営業活動によるキャッシュ・フロー</b>		
税金等調整前四半期純損失(△)	△1,134,253	△2,037,428
減価償却費	58,518	51,482
株式報酬費用	95,787	55,238
持分法による投資損益(△は益)	△5,867	—
固定資産除却損	19,307	—
売上債権の増減額(△は増加)	2,461,753	1,318,356
たな卸資産の増減額(△は増加)	783	3,149
前渡金の増減額(△は増加)	△129,477	114,904
未払金の増減額(△は減少)	△58,304	△82,895
前受金の増減額(△は減少)	172,487	△99,212
その他	△260,184	△56,634
小計	1,220,550	△733,039
法人税等の支払額	△468,310	△13,024
法人税等の還付額	—	267,055
営業活動によるキャッシュ・フロー	752,239	△479,008
<b>投資活動によるキャッシュ・フロー</b>		
有形固定資産の取得による支出	△19,484	△3,701
有形固定資産の売却による収入	—	138
無形固定資産の取得による支出	△12,975	△17,758
その他	△416	435
投資活動によるキャッシュ・フロー	△32,875	△20,885
<b>財務活動によるキャッシュ・フロー</b>		
株式の発行による収入	15,469	11,017,177
財務活動によるキャッシュ・フロー	15,469	11,017,177
現金及び現金同等物に係る換算差額	3,774	375
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	738,607	10,517,659
現金及び現金同等物の期首残高	8,937,546	8,497,065
現金及び現金同等物の四半期末残高	9,676,153	19,014,724

(4) 四半期連結財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)

当社は、平成25年9月3日を払込期日とする公募増資及び平成25年9月25日を払込期日とする第三者割当増資を実施いたしました。この結果、当第2四半期連結会計期間において資本金が5,421百万円、資本剰余金が5,421百万円増加し、当第2四半期連結会計期間末において資本金が9,082百万円、資本剰余金が12,047百万円となっております。

(重要な後発事象)

投資家層の拡大と当社株式の流動性の向上及び株主数の増加を図るために、当社は、平成25年8月19日開催の取締役会決議に基づき、平成25年10月1日を効力発生日として、平成25年9月30日最終の株主名簿に記録された株主の所有株式数を1株につき500株の割合をもって分割し、1単元の株式の数を100株とする単元株制度を採用しております。分割により増加する株式数は、普通株式146,444,524株となります。

### 3. 補足情報

#### (1) 研究開発活動

当社グループは、元東京大学医科学研究所ヒトゲノム解析センター長（現、シカゴ大学教授）中村祐輔教授と共同で、ほぼ全てのがんを対象とした網羅的な遺伝子発現解析等を実施し、既に多くのがん治療薬開発に適した標的分子を同定しております。また、それらの標的に対し、がんペプチドワクチン、低分子医薬、抗体医薬、核酸医薬（siRNA医薬等）の、各領域における創薬研究を積極的に展開し、これら創薬研究の成果を基にした臨床試験を実施中または準備中の医薬品候補物質を複数有しております。

##### <基礎研究領域>

創薬ターゲットの特定等を行う基礎研究領域においては、ヒト全遺伝子の遺伝子発現パターンを網羅的に検索できるcDNAマイクロアレイ（※1、※2）のシステムにより大腸がん、胃がん、肝臓がん、非小細胞肺がん、小細胞肺がん、食道がん、前立腺がん、膵臓がん、乳がん、腎臓がん、膀胱がんおよび軟部肉腫等について発現解析が終了しております。これらの発現解析情報からがんで発現が高く正常臓器では発現がほとんどない遺伝子を選択し、更に機能解析により、がん細胞の生存に必須な多数の遺伝子を分子標的治療薬の標的として同定しております。

##### <創薬研究領域>

医薬品候補物質の同定及び最適化を行う創薬研究領域においては、医薬品の用途毎に、より製品に近い研究を積極的に展開しております。

がんペプチドワクチンについては、これまでに日本人および欧米人に多く見られるHLA-A\*24:02およびA\*02:01を中心に、大腸がん、胃がん、肺がん、膀胱がん、腎臓がん、膵臓がん、乳がんおよび肝がんなどを標的とした計43遺伝子を対象としたペプチドワクチンを既に同定しておりますが、それら以外にもA\*11:01, A\*33:03, A\*01:01およびA\*03:01など、様々なHLAに対応したより多くのエピトープペプチドのスクリーニングを実施しております。さらに、塩野義製薬株式会社と、ペプチドワクチンの迅速かつ確実な創薬化を目指した共同研究を実施しております。

なお、パナソニックヘルスケア株式会社と、がんワクチン療法の効果を判定するための免疫検査について、客観的な効果判定を確立することを目的とした「免疫検査工程を自動で行う検査システム(automated-Specific Immuno-monitoring System)」の共同開発契約を締結しております。

低分子医薬については、7種のがん特異的タンパク質を標的とする創薬研究を進めております。そのうち1種の標的であるリン酸化酵素（キナーゼ）については、米国にて第I相臨床試験を実施中です。他の1種のリン酸化酵素（キナーゼ）については、これまでに得た高活性化化合物に基づきリード最適化作業を進め、in vivo（※3）で強力な腫瘍増殖抑制効果を示すOTS964等を同定し、OTS964等を医薬品開発候補化合物として臨床開発することを決定いたしました。（詳細は、以下、〈医薬開発領域〉低分子医薬をご覧ください。）さらに、別の1種の標的酵素タンパク質に関して、これまでの構造活性相関研究による新規化合物合成の結果得られた複数の高活性化化合物に基づきリード最適化作業を進めるとともに、in vivoでの薬効試験を実施中です。また、さらに別の4種の標的酵素タンパク質に関して、大規模化合物ライブラリのスクリーニングから得た高活性化化合物骨格につき、リード化合物獲得に向けた新規化合物合成と構造活性相関研究を進めるとともに、in vivoでの薬効試験を開始しました。

抗体医薬については、3分子に絞り込んだ治療標的となるがん特異的抗原について、マウスモノクローナル抗体ならびにキメラ抗体のがん治療用抗体としての評価を行っております。1標的については、フランスで臨床試験を実施しております。（詳細は、以下、〈医薬開発領域〉抗体医薬をご覧ください。）残りの

2 標的については、放射性同位体で標識した抗体を担がんマウスに投与することで、高い治療効果が得られることが判明しております。これらの抗体については臨床開発を視野に入れた抗腫瘍効果の検討および安全性の評価を進めております。

核酸医薬については、高い効果が期待でき、かつ将来的に幅広いがん種への応用が期待できる開発候補として4分子を抽出し、なかでも特に効果の高い1分子に関して、in vivoでの抗腫瘍効果の検討を進めております。現在、新規ドラッグ・デリバリー・システムの探索に継続して取り組んでおります。

このように、独創的な分子標的治療薬の創製を目指した創薬研究を、多岐にわたり展開しております。

#### < 医薬開発領域 >

医薬開発領域においては、当社グループ独自で、ならびに複数の製薬企業との提携による開発を、それぞれ進めております。

#### ・がんワクチン

がんペプチドカクテルワクチン療法剤C01は、承認申請を目指した、膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験 (COMPETE-PC Study) を実施しております。現在、200例を超える患者さんの登録がすでに完了しております。また、あらかじめ定められたプロトコルの規定により第三者機関である効果安全性評価委員会にて、第3回中間解析 (目的：本治療薬の有効性の評価) を実施する予定です。なお、最終の解析は最後の患者さんの登録から365日後の実施を予定しており、試験計画時に予め定められた基準を満たせば、C01を新薬として承認申請する予定です。

胃がんに対する治療用カクテルワクチンOTS GC-A24は、アジア国際共同医師主導治験として、シンガポール、日本及び韓国において、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を実施しております。

扶桑薬品工業株式会社並びに大塚製薬株式会社と提携しております新生血管阻害作用を期待したがんワクチン療法剤OTS102 (エルパモチド, Elpamotide) は、胆道がんを対象とした第Ⅱ相臨床試験が終了し、欧州癌学会会議にて結果を発表いたしました。(平成25年10月1日付当社リリース「胆道癌に対する第Ⅱ相臨床試験の欧州癌治療学会議 (ESMO) 2013 での発表のお知らせ」をご覧ください。)

大塚製薬株式会社と提携しておりますペプチドワクチンの開発については、膵臓がんに対する治療用ワクチンOCV-101の第Ⅱ相臨床試験を実施しており、大腸がんペプチドワクチンについては、大塚製薬株式会社にて第Ⅰ相臨床試験を実施しております。

塩野義製薬株式会社と提携しておりますオンコアンチゲン (※4) 由来のペプチドワクチンの開発については、まず、膀胱がんを対象とした複数のペプチドワクチンを用いたがん治療用ワクチン製剤 (S-288310) で、国内において第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を、アジアにおいて第Ⅰ相臨床試験を、それぞれ塩野義製薬株式会社の実施中です。また、食道がんを対象とした複数のペプチドワクチンを用いたがん治療用ワクチン製剤 (S-488410) で、国内において第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を、頭頸部がんを対象とした複数のペプチドワクチンを用いたがん治療用ワクチン製剤 (S-488210) で、欧州において第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を、それぞれ塩野義製薬株式会社の実施中です。さらに、加齢黄斑変性症治療用ペプチドワクチン (S-646240) につきましても、塩野義製薬株式会社が国内において第Ⅱa相臨床試験を実施しております。

小野薬品工業株式会社と提携しておりますオンコアンチゲン由来のペプチドワクチン (ON0-7268MX1) については、小野薬品工業株式会社が肝細胞がんを対象とした第Ⅰ相臨床試験を実施しております。

その他、医師主導治験として4つの臨床試験を実施しております。

・低分子医薬

新規低分子化合物OTS167の固形腫瘍に対する第I相臨床試験を米国にて実施しております。このOTS167は、ゲノム包括的遺伝子解析により発見された新規キナーゼであるMELK(Maternal Embryonic Leucine zipper Kinase)を標的とした、新しい作用機序の分子標的薬です。MELKは主要な正常組織に発現しておらず、幅広いがん種で発現が亢進しており、がん細胞の増殖に加えて、最近、がん幹細胞の形成と維持にも重要な役割を果たすことが報告されています。また、OTS167は、モデルマウスを用いた動物試験において、肺がん、前立腺がん、乳がん、膵臓がんなどに対し、強い抗腫瘍効果を確認しております。このことからOTS167は、がん幹細胞に対する治療薬候補であり、ヒトでも強力な抗腫瘍効果が期待されます。

さらに、OTS167とは異なる新規キナーゼを標的とする高活性医薬品候補低分子化合物としてOTS964等を同定し、臨床開発を行うことを決定しました。本キナーゼは、主要な正常臓器にまったく発現しておらず、肺がんなど幅広いがん種で発現が亢進し、がん細胞の増殖に重要な役割を果たすことが報告されています。OTS964等、本キナーゼを特異的に阻害する高活性の医薬品候補低分子化合物は、ヒトがん細胞を用いた動物実験において、肺がんや膀胱がんなどに対し強力な抗腫瘍効果を示し、ヒトでも強い抗腫瘍効果が期待されます。

・抗体医薬

フランス現地子会社(OTS-France)で開発中のがん治療用抗体医薬OTSA101については、フランス・リヨンにあるレオンベラルセンター(Centre Léon Bérard; CLB)などにおいて、Jean-Yves Blay教授(肉腫治療の世界的権威、元欧州がん研究・治療機構(EORTC)会長)の指揮のもと滑膜肉腫に対する第I相臨床試験(治験)を施行しております。なお、OTSA101については、欧州委員会(European Commission)並びに米国食品医薬品局(FDA)のOffice of Orphan Products Development(OOPD)により、軟部肉腫に対するオーファンドラッグ(希少疾病用医薬品)として指定されています。

[用語解説]

(※1) mRNA、RNA、cDNA

RNAはリボ核酸、mRNAはRNAのうち、メッセンジャーすなわち「伝令」の役割をするものであります。人間の体は約60兆個の細胞によって作られていますが、体の構造や働きはおもにタンパク質によって決まっております。そのタンパク質の設計図は遺伝子であり、そして、遺伝子の本体はDNAであります。このDNAは細胞の核の中にある染色体に存在しておりますが、タンパク質は設計図であるDNAから直接作られるのではなく、一旦、DNAからRNAが作られ、そのRNAが翻訳されてタンパク質となります。この一旦作られるRNAを「伝令」すなわちメッセンジャーRNA(mRNA)といいます。つまり、遺伝子情報の流れはDNA→mRNA→タンパク質というようになっております。cDNAは、mRNAから逆転写酵素を用いた逆転写反応によって合成されたDNAで、イントロンを含まない状態の遺伝子(塩基配列)を知ることができることから、遺伝子のクローニングに広く利用されております。

(※2) マイクロアレイ

小さな基盤上に非常に高密度にDNAを配置し、それらを手がかりに大量の遺伝子情報を獲得することを目的として開発されたシステム。現在、遺伝子発現情報の解析において有用なものであると考えられております。

(※3) in vivo

in vitroとは対比的に用いられ「体の中で」を意味する医学・化学用語です。一般に生体内(主に実験動物)での実験的検証を意味します。

(※4) オンコアンチゲン

がん細胞に特異的に発現し、増殖能などがん細胞に必須の機能を有する一方、正常細胞には極めて発現の低い分子で、細胞傷害性T細胞から認識される抗原性を持った腫瘍特異的な標的分子を指します。