第18回定時株主総会

オンコセラピー・サイエンス株式会社

2019年６月20日

OTSのミッション

より治療効果が高く、

より副作用の少ないがん治療薬・治療法を

一日も早く

がんに苦しむ患者さんに届けること

がんとの闘いに勝つこと

OTSの特徴

OTSの革新的基盤技術→創薬モデル

網羅的遺伝子解析データベースに基づき、
がん細胞に作用し、ヒト正常臓器細胞には作用しない
副作用の少ない新薬候補に結びつける「創薬モデル」

1. 新鮮な多数の臨床検体（サンプル）

- 約１０００例以上の臨床検体（患者数 20～80 名/ がん種)

2. がん特異的遺伝子の特定

- Laser Microbeam Microdissection (LMM) system
  がん細胞および正常細胞の遺伝子発現データベース構築
- 独自の cDNA マイクロアレイ解析

3. がん細胞の生存または増殖に必須であるか確認

- RNA干渉法による阻害他の確認

4. ヒトの31正常臓器細胞における発現の確認

- 生命維持に重要な正常臓器細胞では発現していない

OTSの研究開発戦略

OncoTherapy Science,Inc.

基本方針

ＯＴＳ革新的基盤技術に基づく創薬モデルから新薬候補を継続的に創製

領域別開発戦略

＜低分子医薬＞

- ✓ 大学・ 研究機関の医師・研究者など専門家との協力
- ✓ グローバルな視点で臨床試験を迅速に遂行

＜がんペプチドワクチン＞

- ✓ 提携先製薬企業との戦略的対話促進
- ✓ 提携先の側方支援、後方支援

＜抗体医薬＞

- ✓ 日米欧での希少疾患薬の承認を目指す

開発パイプライン

開発パイプライン（2019.3現在）

OncoTherapy Science,Inc.

食道がんの第Ⅲ相試験（塩野義導出済）を筆頭に、
3分野（低分子、ペプチドワクチン、抗体）のすべてで、治験段階の開発が進んでいる

	化合物	標的/疾患	導出	非臨床試験	第Ⅰ相臨床試験	第Ⅱ相臨床試験	第Ⅲ相臨床試験
低分子	OTS167	MELK/白血病	–				
	OTS167	MELK/乳がん	–				
	OTS964等	TOPK	–				
ペプチドワクチン	S-588410	食道がん（開発支援）	塩野義製薬株式会社				
	S-588410	膀胱がん	塩野義製薬株式会社				
	S-488210	頭頸部がん	塩野義製薬株式会社				
	S-588210	固形がん	塩野義製薬株式会社				
	OTSGC-A24	胃がん（医師主導治験）	–				
抗体	OTSA101	滑膜肉腫	–				
	KHK6640	アルツハイマー型認知症	協和発酵キリン株式会社				

注：青は当社開発中（開発支援含む）、緑は導出済み（導出先の製薬会社が開発中）

当期の活動状況

OTS167臨床開発状況

- 2017年5月乳がん患者を対象とした第1相試験の患者登録開始
- 経口投与での安全性・忍容性確認が主目的

ステージ	第1相
対象疾患	治療不応・再発乳がん（トリプルネガティブ乳がん含む）
投与経路	経口（カプセル）
治験実施施設	MDアンダーソンがんセンター、コーネル大学、ノーウォーク・ホスピタル、メモリアルスローンケタリングがんセンター（アメリカ）
目的	OTS167経口反復投与の安全性、忍容性確認 用量制限毒性（DLT）、最大耐量（MTD） 体内薬物動態の確認 トリプルネガティブ乳がんにおける有効性（副次的）

OTS167臨床開発状況

- 2016年8月血液がん患者を対象とした第1/2相試験開始
- 静脈内反復投与での安全性、最大耐量確認が主目的

ステージ	第1/2相
対象疾患	治療不応・再発白血病 （急性骨髄性白血病、急性リンパ性白血病、慢性骨髄性白血病、骨髄異形成症候群、骨髄増殖性腫瘍）
投与経路	静脈内
治験実施施設	シカゴ大学、コーネル大学（アメリカ）
目的	<u>第1相</u> OTS167反復投与（連日）の安全性、忍容性確認 用量制限毒性（DLT）、最大耐量（MTD）確認 体内薬物動態の確認 <u>第2相</u> 推奨投与用量・用法での安全性・有効性確認

OTSA101-^{90}Y 臨床開発状況と今後の方針

- フランスにおいて滑膜肉腫患者を対象とした医師主導第Ⅰ相臨床試験を終了（安全性、腫瘍集積を確認）
- OTSA101-90Yはオーファンドラッグとして開発：欧州医薬品庁（EMA）、米食品医薬品局（ＦＤＡ）によるオーファンドラッグ指定
- 日米欧の規制当局と次の臨床試験を検討する（オーファンドラッグ活用）
- 滑膜肉腫における承認申請（日米欧）を目指す
- 他のがん種の追加適応を検討する

がんペプチドワクチン開発状況

	化合物	標的/疾患	導出	非臨床試験	第Ⅰ相 臨床試験	第Ⅱ相 臨床試験	第Ⅲ相 臨床試験
ペプチドワクチン	S-588410	食道がん （開発支援）	塩野義製薬 株式会社				
	S-588410	膀胱がん	塩野義製薬 株式会社				
	S-488210	頭頸部がん	塩野義製薬 株式会社				
	S-588210	固形がん	塩野義製薬 株式会社				
	OTSGC-A24	胃がん （医師主導治験）	–				

注：青は当社開発中（開発支援含む）、緑は導出済み（導出先の製薬会社が開発中）

- 固形がん患者を対象としたS-588210第1相試験をイギリスで開始
- 胃がん患者を対象としたOTSGC-A24とオプジーボ併用第1相試験をシンガポールで実施中

がんプレシジョン医療への取組み
～株式会社Cancer Precision Medicineのミッション～

Cancer Precision Medicine

がんプレシジョン医療

適切な人に適切なタイミングで適切な治療を

人の 遺伝子解析情報	→	新しい治療法の 研究開発

- 生存率の向上
- 高精度にがんを狙う
- 副作用の緩和

CPM社の受託事業および研究開発

Cancer Precision Medicine

適切な治療薬・治療法の選択

免疫療法の研究開発

早期発見・再発モニタリング

CPM社のアプローチ

Cancer Precision Medicine

(1) 適切な治療薬の選択

✓ シーケンス解析

(2) 新規がん治療薬・治療法の研究開発

個別化免疫療法
✓ネオアンチゲンワクチン療法
✓TCR遺伝子導入T細胞療法

(3) がんスクリーニング率向上と早期診断
再発の早期発見と早期治療

✓ リキッドバイオプシー

対処すべき課題

１、基礎研究の継続的な実施
２、創薬研究の確実な推進
３、臨床開発の確実かつ迅速な推進
４、新規提携先の開拓及び既存提携先との
　　提携事業の確実な推進
５、がんプレシジョン医療関連事業への取組み
６、経営環境及び経営者の問題意識と
　　今後の方針について

1、基礎研究の継続的な実施

OncoTherapy Science,Inc.

✓神経芽腫に対するMELK阻害剤「OTS167」の抗腫瘍効果に関する論文(2019.2)

✓がん標的分子であるメチル化転移酵素SUV39H2を阻害する低分子化合物に関する論文(2018.8)

✓当社が新規抗がん剤（低分子化合物）を開発中のたんぱく質メチル化転移酵素SMYD3に関して重要な働きがあることを発表した論文(2016.9)

⋮

他多数

Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase (MELK), a Potential Therapeutic Target for Neuroblastoma

Alexandre Chlenski, Chanyoung Park, Marija Dobratic, Helen R. Salwen, Brian Budke, Jae-Hyun Park, Ryan Miller, Mark A Applebaum, Emma Wilkinson, Yusuke Nakamura, Philip P Connell, and Susan L Cohn

DOI: 10.1158/1535-7163.MCT-18-0819 Check for updates

Article Figures & Data Info & Metrics PDF

Published OnlineFirst January 23, 2019
doi: 10.1158/1535-7163.MCT-18-0819

Abstract

Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase (MELK) activates pathways that mediate aggressive tumor growth and therapy resistance in many types of adult cancers. Pharmacologic and genomic inhibition of MELK impairs tumor growth and increases sensitivity to radiation and chemotherapy. Based on these promising preclinical studies, early phase adult clinical trials testing the MELK

Request Permissions
Open full page PDF
Article Alerts
Email Article

Share
Tweet
いいね！0

→今後も当社独自及び共同研究等による研究体制の充実と円滑な推進を図る

2、創薬研究の確実な推進

OncoTherapy Science,Inc.

～革新的基盤技術に基づく創薬モデル～

創薬新規標的

がん細胞に発現し
正常細胞に発現しない
網羅的遺伝子解析
データベース

低分子医薬

OTS167　、OTS964等

ペプチドワクチン

S-588410、他複数

抗体医薬

OTSA101

2、創薬研究の確実な推進

～事例：低分子医薬の創薬研究の進展イメージ～

	化合物	標的/疾患	基礎研究 創薬研究	非臨床試験	第Ⅰ相 臨床試験	第Ⅱ相 臨床試験	第Ⅲ相 臨床試験
低分子	OTS167	MELK/白血病	→	→	→		
	OTS167	MELK/乳がん	→	→	→		
	OTS964等	TOPK	→	→			
	―	5種類の標的を同定済	→				

出典： OTS社内資料

→画期的医薬品の創薬を目指す

3、臨床開発の確実かつ迅速な推進
～今後の開発方針～

OTS167（MELK阻害剤）

✓血液がん、固形がん(難治性)を対象に静脈内投与と経口投与の開発を進める

✓グローバルで治験を実施しており、2019.3期において施設追加を確認
しており更に開発を加速する

OTS964等（TOPK阻害剤）

✓臨床試験開始を目指し、製剤化検討及びOTS964を含め
TOPK化合物について非臨床試験を実施中

✓TOPK化合物の最適化検討を継続しより効果の強く見込める
化合物開発を進める

3、臨床開発の確実かつ迅速な推進
～今後の開発方針～

OncoTherapy Science,Inc.

OTSA101（抗FZD10抗体）

✓企業主導の次の臨床試験について検討し、滑膜肉腫における日米欧の承認申請を目指す（オーファンドラッグ活用）

✓他のがん種の追加適応を検討する

各がんペプチドワクチン

✓提携先が実施する各臨床開発の側面支援、後方支援を強化

✓OTSGC-A24の胃がんに対する免疫チェックポイント阻害剤併用第Ⅰ相臨床試験（医師主導治験）を実施

→データに基づいた適応症の選択を行い、臨床開発を確実かつ迅速に推進させる方針

4、新規提携先の開拓及び既存提携先との提携事業の確実な推進

	化合物	標的/疾患	導出	非臨床試験	第Ⅰ相臨床試験	第Ⅱ相臨床試験	第Ⅲ相臨床試験
低分子	OTS167	MELK/白血病	–				
	OTS167	MELK/乳がん	–				
	OTS964等	TOPK	–				
ペプチドワクチン	S-588410	食道がん（開発支援）	塩野義製薬株式会社				
	S-588410	膀胱がん	塩野義製薬株式会社				
	S-488210	頭頸部がん	塩野義製薬株式会社				
	S-588210	固形がん	塩野義製薬株式会社				
	OTSGC-A24	胃がん（医師主導治験）	–				
抗体	OTSA101	滑膜肉腫	–				
	KHK6640	アルツハイマー型認知症	協和発酵キリン株式会社				

注：青は当社開発中（開発支援含む）、緑は導出済み（導出先の製薬会社が開発中）

開発パイプライン（2019.3現在）

→一日も早く医薬品候補化合物の上市を目指す

サイアス株式会社とのライセンス契約締結

＜合意の内容＞

- 当社のがん治療用ペプチドワクチンを利用して製造した再生T細胞をがん治療に用いることに関して独占的な開発・製造・販売権を供与
- サイアス社は、当該ペプチドワクチンを利用して製造した再生T細胞を用いたがん患者さんの治療を目指す
- 契約一時金、マイルストーン及び上市後のロイヤルティーをサイアス社から受け取る

＜サイアス株式会社＞

- サイアス株式会社は、ヒトiPS細胞を介して得られる再生T細胞を用いた免疫細胞療法の製剤の提供を目指す会社

5、がんプレシジョン医療関連事業への取組み

OncoTherapy Science,Inc.

Cancer Precision Medicine

検査受託サービス

川崎市指令健医第288号　衛生検査所登録第293号

- ✓ 全エクソーム
  RNAシーケンス
  ネオアンチゲン解析
- ✓ リキッドバイオプシー
- ✓ TCR/BCRレパトア解析
- ✓ 免疫反応解析

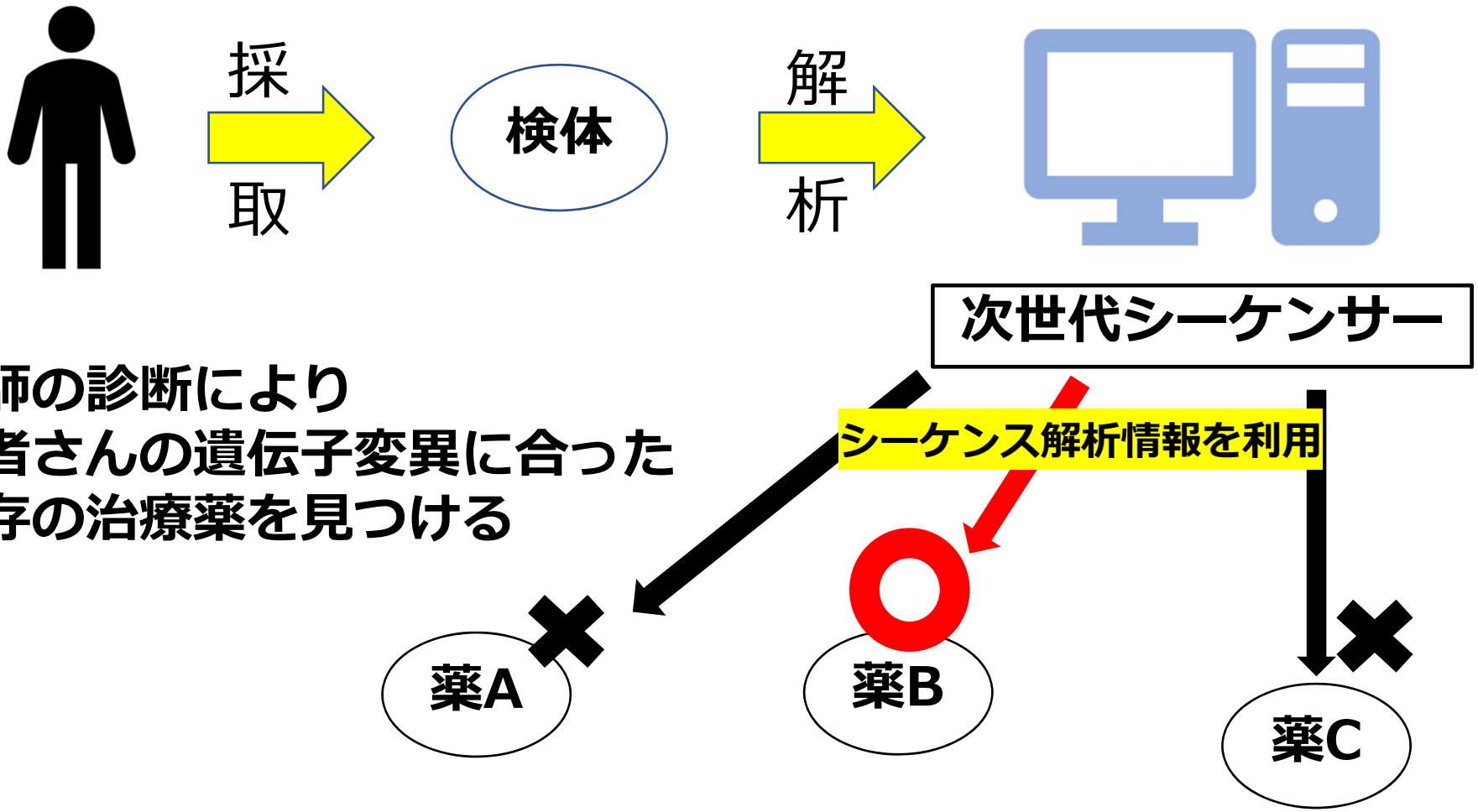
研究開発

- ✓ ネオアンチゲンワクチン療法
- ✓ TCR遺伝子導入T細胞療法

適切な治療と希望を全てのがん患者さんへ

(1)適切な治療薬の選択

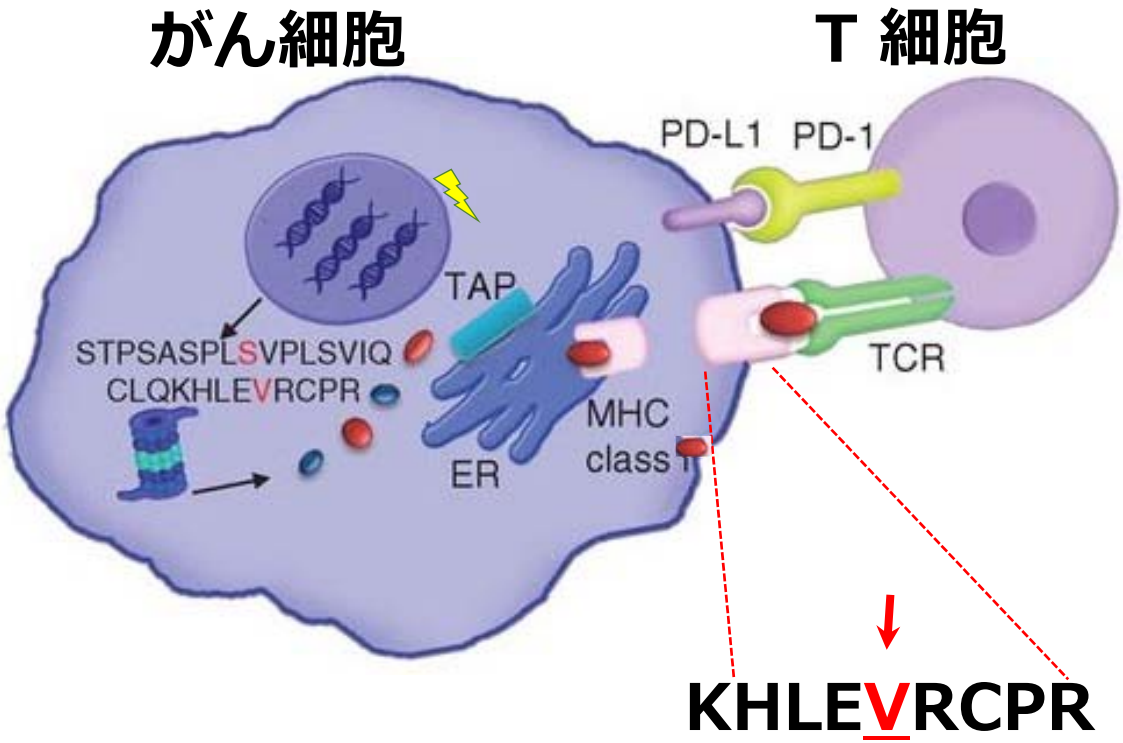
クリニカルシーケンスとは



医師の診断により
患者さんの遺伝子変異に合った
既存の治療薬を見つける

(2)新規がん治療薬・治療法の研究開発

ネオアンチゲンとは



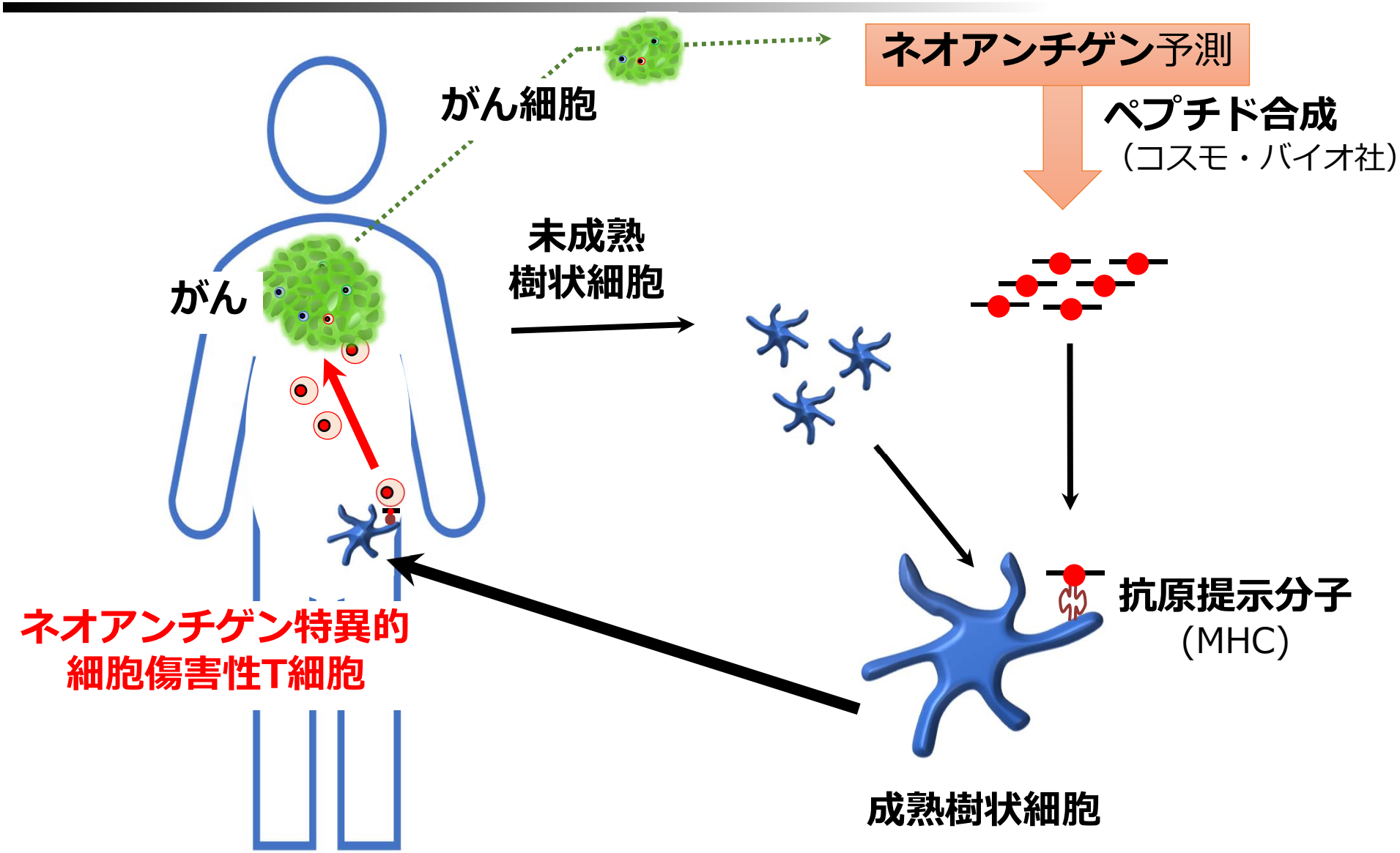
ネオアンチゲン

がん特異的な抗原となるネオアンチゲンは、アミノ酸を変える遺伝子変異を持つDNAから作られるタンパク質が分解してできるもので、分解してできたペプチドはMHC(HLA)分子とくっつくことで、がん細胞の表面に運ばれ、免疫細胞の攻撃目標となる。

adapted from Anagnostou et al., Cancer Discov. 2017 (Cancer Discov 2017;7:264-76)

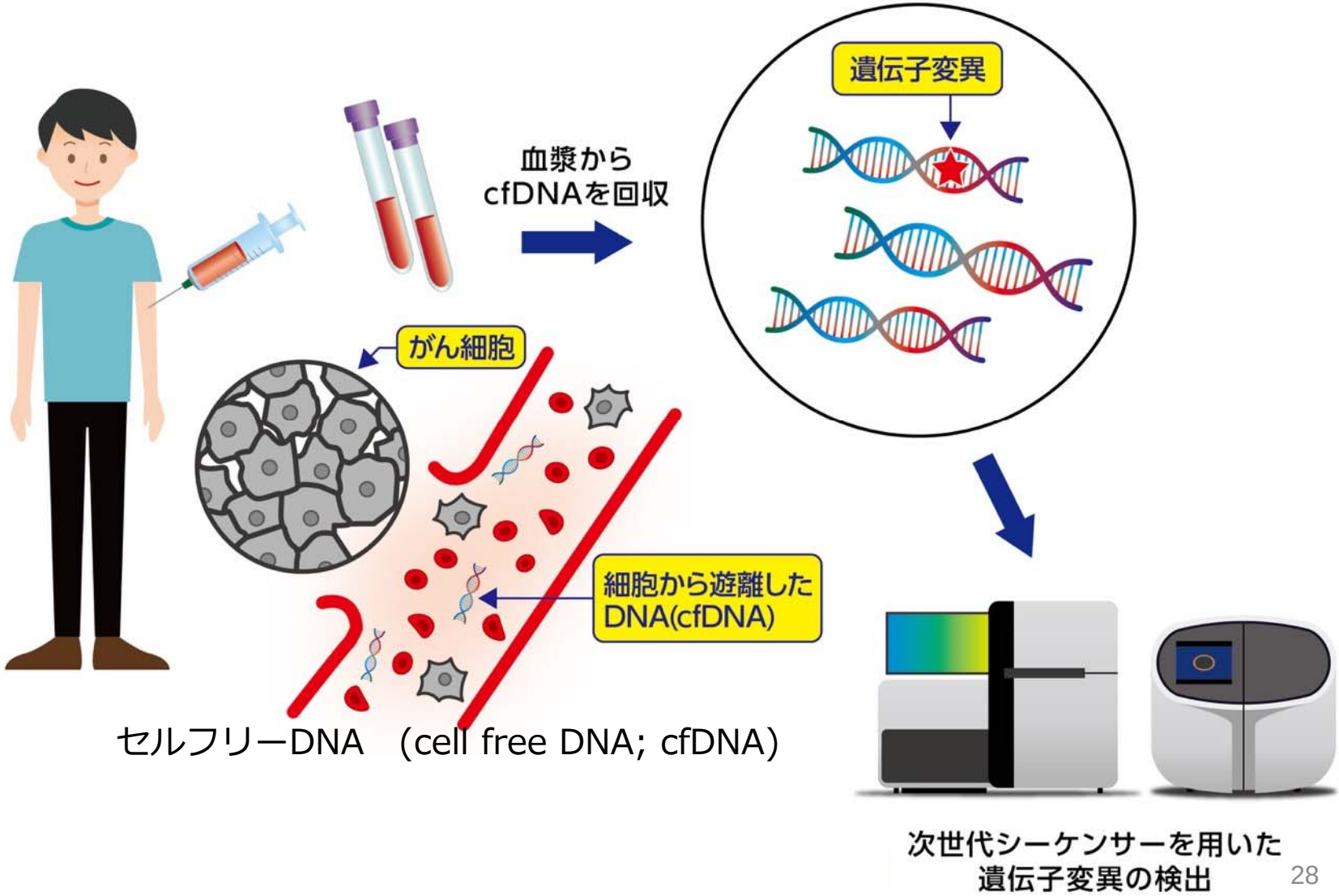
(2) 新規がん治療法の研究開発

ネオアンチゲン樹状細胞（DC）療法



(3)がんスクリーニング率向上と早期診断

リキッドバイオプシー

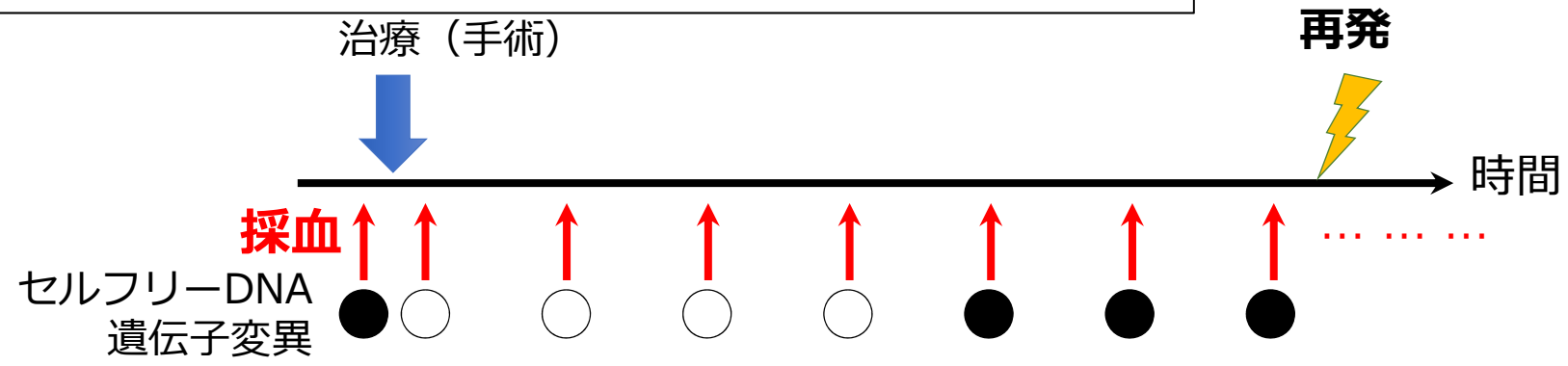


セルフリーDNA　(cell free DNA; cfDNA)

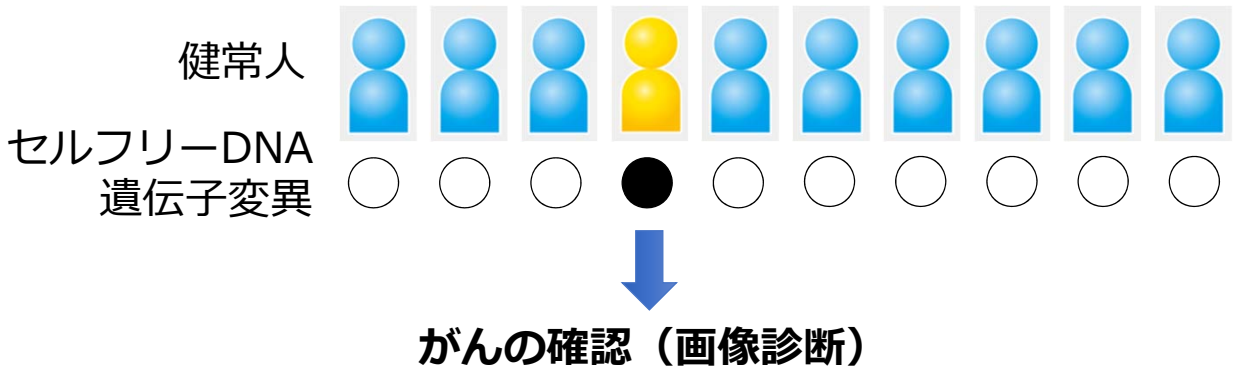
(3)がんスクリーニング率向上と早期診断

リキッドバイオプシーの応用

がん治療効果のモニタリングおよび再発の早期発見



がんスクリーニングと早期診断

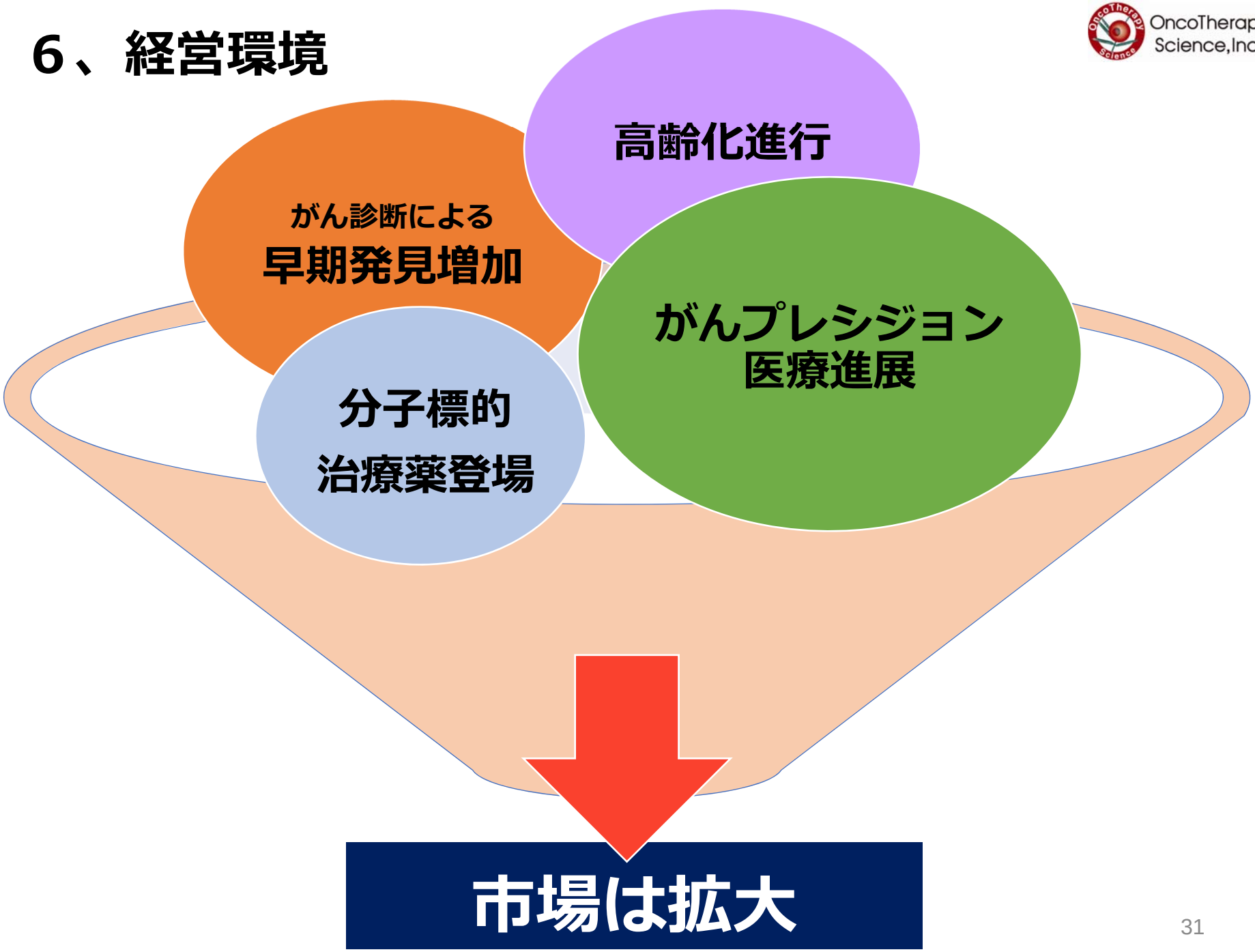


がんの遺伝子変異情報に基づいた薬の選択

(3)がんスクリーニング率向上と早期診断 共同研究

契約先	概要
IMSグループ医療法人社団明芳会 **IMSグループ医療法人財団明理会** **株式会社アイル** IMSグループ 職員数： 21,709 名　（2017年） 総病床数： 12,493 床　（2017年）	**胃がん、大腸がんの手術後** **再発の早期発見を目的とした** **共同研究**
公益財団法人がん研究会 外来患者数： 418,944 名　（2016年） 手術数： 8,548 件　（2016年）	**固形がんの診断を目的とした** **技術・改良、新規技術の共同研究**
セコム医療システム株式会社 **医療法人社団あんしん会** **四谷メディカルキューブ** セコム健康くらぶKENKO 提携医療機関	**リキッドバイオプシーによる** **がんの早期発見法の検討にかかる** **共同研究**

6、経営環境



６、経営者の問題意識と今後の方針
～拡大する市場に対応するための重要な要素～

事業推進のスピード

- 研究成果を一日も早く臨床開発へ
- 臨床開発を加速
- がんプレシジョン医療分野の質の高い解析検査、がん免疫療法の研究開発をより早く進展

６、経営者の問題意識と今後の方針
～拡大する市場に対応するための重要な要素～

事業領域の拡大

- 低分子医薬、がんペプチドワクチン、抗体医薬はより多くの医薬品開発用途へ応用
- がんプレシジョン医療に積極的に取り組む

６、経営者の問題意識と今後の方針
～拡大する市場に対応するための重要な要素～

リスクとリターンのバランス

- 提携契約、研究開発の締結により
  製品化の可能性を極大化しつつ
  リスクは経営上合理的なレベルにとどめる

当社グループ目標への包括的アプローチ

OncoTherapy Science,Inc.

OTS	分子標的薬を提供			
	健常	発病/治療	治癒	再発/治療
	健康診断	• 手術 • 化学療法 • 分子標的治療 • チェックポイント阻害剤	・経過観察 ・メンテナンス（再発予防）	• 手術 • 化学療法 • 分子標的治療 • チェックポイント阻害剤
	遺伝子情報あり	遺伝子変異情報参照	遺伝子情報あり	遺伝子変異情報参照
CPM	新たな遺伝子解析情報の提供			
	リキッドバイオプシー	ネオアンチゲン療法	リキッドバイオプシー	ネオアンチゲン療法

個人の健康ステージに合わせたソリューションの提供

本資料は、投資者に対する情報提供を目的として記載したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。本資料発表日現在の将来に関する前提、見通し、計画に基づく予測が含まれております。これらは現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、今後の経済情勢、市場の変動等に関わるリスクや不確定要因により、実際の業績は予測と大きく異なる可能性があります。

当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。