

オンコセラピー・サイエンス株式会社

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。

2021年5月26日

当社グループ



オンコセラピー・サイエンス (OTS)

2001年4月～

**創薬研究
医薬品開発事業**

がんワクチン
抗体医薬
低分子医薬

イムナス
ファーマ

2004年8月～

抗体医薬の商業化

Cancer Precision
Medicine (CPM)

2017年7月～

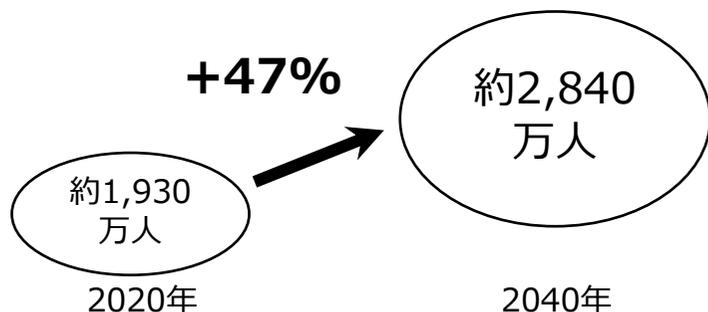


**クリニカルシーケンス解析
がん免疫治療研究開発事業**

遺伝子解析サービス
(全エクソーム、ネオアンチゲン等)
免疫反応解析
リキッドバイオプシー
がん免疫治療研究開発

世界、国内のがん患者数

世界におけるがん患者数



※新たに診断されたがん罹患の数

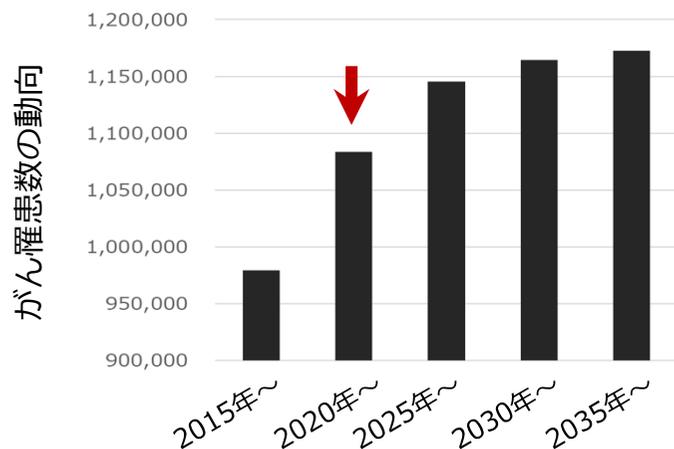
世界のがん罹患数※



世界のがん死亡数



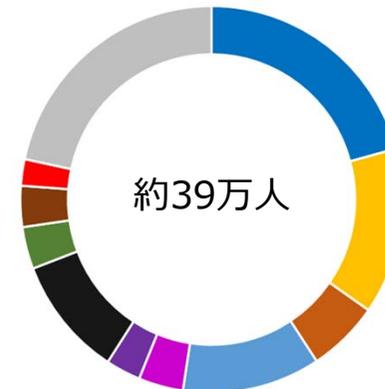
国内のがん患者数



国内のがん罹患数※



国内のがん死亡数

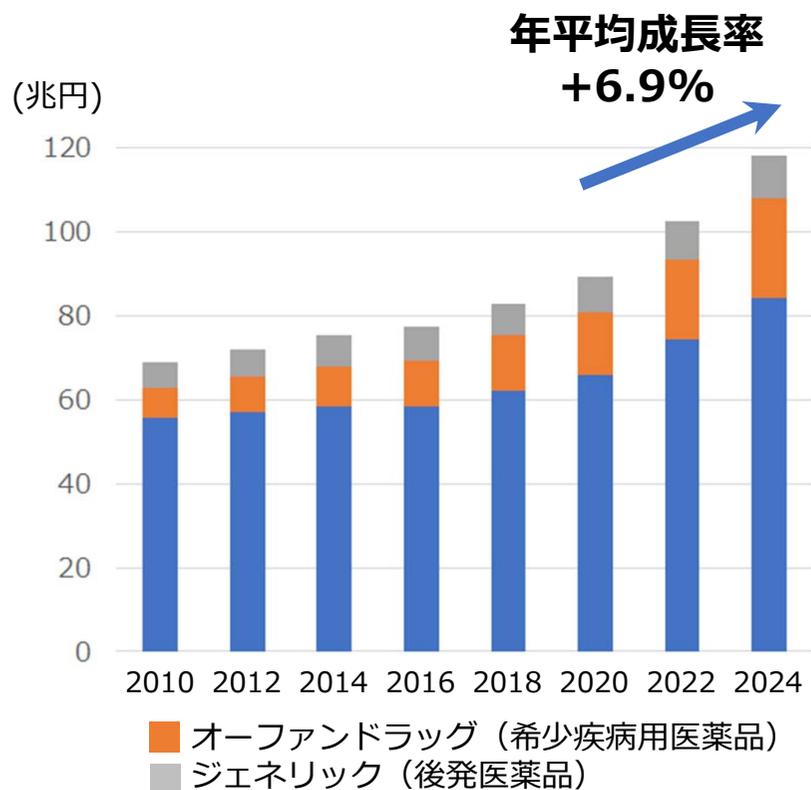


乳房	前立腺	食道	膀胱	その他
肺	胃	子宮	膵臓	
大腸	肝臓	甲状腺	白血病	

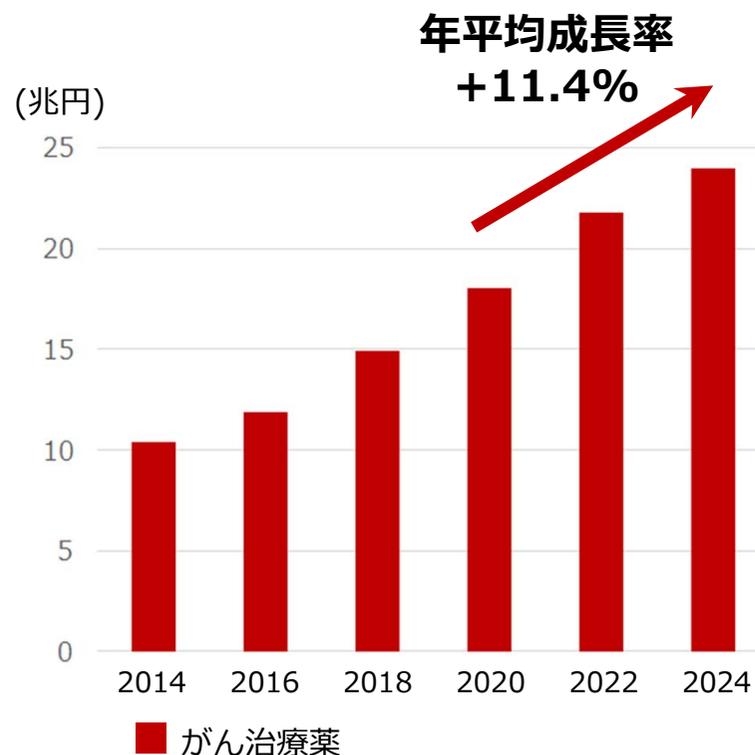
出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin.
 平成28年度科学研究費補助金基盤研究(B)(一般)日本人におけるがんの原因・寄与度：最新推計と将来予測
 国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」

世界的ながん治療薬開発の動向

世界医薬品市場



世界医薬品市場(がんのみ)



がん免疫療法（免疫チェックポイント阻害剤など）の急速な伸長

※ アメリカで、がん免疫療法を受けた患者さんの人数

2014年 : 2,000人

2016年 : 96,000人

2018年 : 212,000人 (概算)

出典 : EvaluatePharma, World Preview 2019
 IQVIA Institute, Global Oncology Trends 2019

OTSグループの特徴

革新的基盤技術に基づく創薬モデル

がん特異的遺伝子の特定

1,000例以上の臨床検体（患者数 20～80 名/ がん種）

がん細胞の生存または増殖に必須であるか確認

がんペプチド
ワクチン

抗体医薬

低分子医薬

- ✓ 大学・研究機関との提携、共同研究
- ✓ 科学的エビデンスを論文・学会発表

OTSグループの特徴

がん免疫療法開発の様々なノウハウ

がんペプチドワクチン

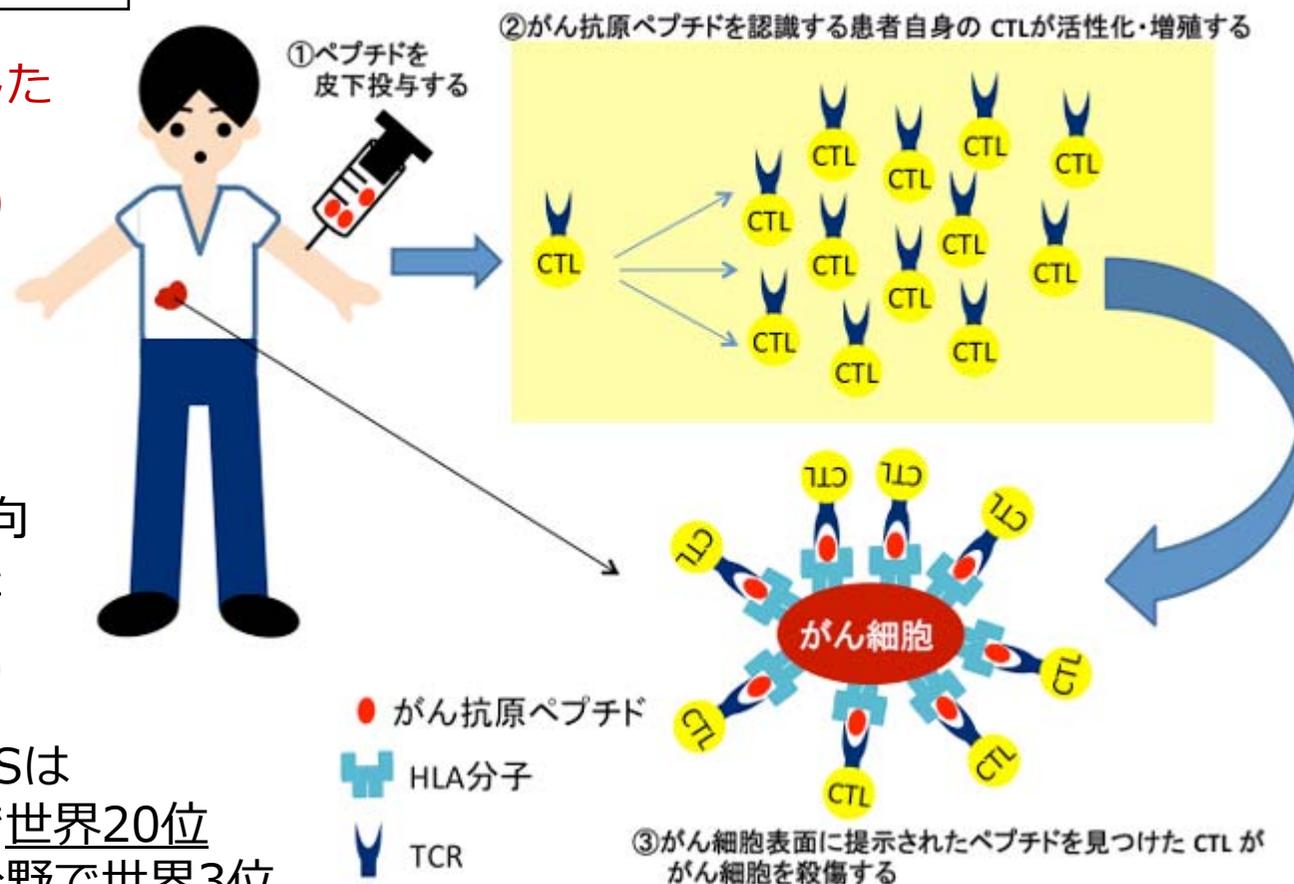
計43遺伝子を対象とした
タンパク質断片
(エピトープペプチド)
を既に同定

※ 国内企業の主な
がんワクチン療法動向
P3→1件 P1/2→2件
P2→5件 P1→6件

出典：AnswersNews (2020.6.15)

※ 特許出願件数で、OTSは
「がん免疫療法」全体で世界20位
「がんワクチン療法」分野で世界3位

出典：AnswersNews (2019.6.20)、2018年度の特許出願技術動向調査報告書



がんペプチドワクチン

当社が特許を保有するペプチドワクチンを使用した臨床試験（医師主導治験）の最近論文発表

- **神経線維腫症 2 型** に対する VEGFR ペプチドワクチンの第 I / II 相臨床試験
ワクチンに関連する重篤な合併症はなく、VEGFR ペプチド特異的な CTL が誘導され、一部の症例で腫瘍縮小及び聴力改善

出典：Tamura et al., *Nat Commun.* 2019、慶應大学のプレスリリース（2020年6月24日）

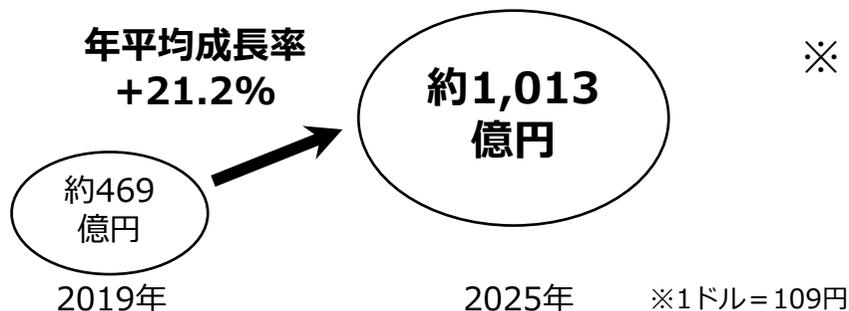
- 手術後にリンパ節転移が確認された予後不良の**食道がん**患者の第 II 相臨床試験
がんペプチドワクチン（3種類のがん抗原ペプチド）の投与で、がん患者の5年生存率を約2倍に改善

出典：Yasuda et al., *Ann Surg.* 2020、近畿大学のプレスリリース（2020年8月31日）

- 再発・難治性の**子宮頸がん**および**卵巣がん**患者の第 II 相臨床試験
2~5種類のがん抗原ペプチドワクチンの投与で、それぞれのがんにおいて奏効率は20.0%と22.9%、病勢コントロール率は80.0%と82.9%の結果

出典：Takeuchi et al., *Oncoimmunology.* 2020

がんペプチドワクチンのグローバルマーケット予測



※ OTSをがんペプチドワクチン分野の11社「key player」（重要開発企業）の内一つとして紹介

出典：Peptide Cancer Vaccine market report
Market Study Report, LLC. (2021.5.5)

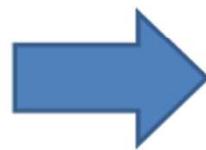
OTSグループの特徴

がんプレシジョン医療を推進する事業展開

がんプレシジョン医療とは

適切な人に適切なタイミングで適切な治療を提供すること

がん患者さんの
遺伝子解析



分子標的療法の
選択および開発

- 生存率の向上
- 高精度にがんを狙う
- 副作用の緩和等

患者さんごとに最適な治療を提供できるように

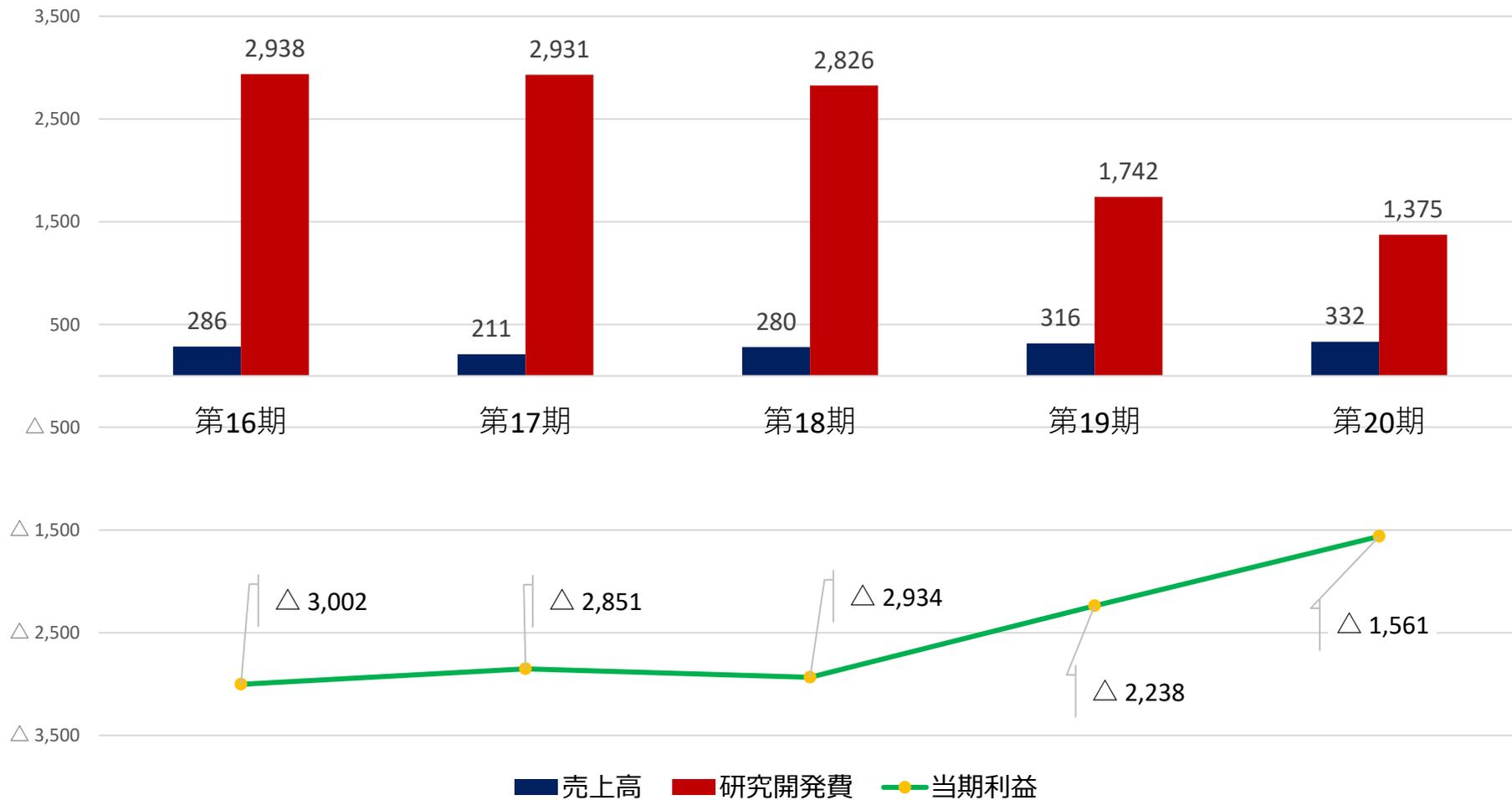
2021.3期 決算状況

連結損益計算書			
(百万円)	2020.3期	2021.3期3Q	2021.3期
事業収益（売上高）	316	160	332
経常損失	2,197	1,261	1,639
親会社株主に帰属する 当期（四半期）純損失	2,238	1,182	1,561
(研究開発費)	(1,742)	(972)	(1,375)

セグメント	医薬品の研究及び開発			がんプレシジョン医療関連事業			
	(百万円)	2020.3 期	2021.3期 3Q	2021.3 期	2020.3期	2021.3期 3Q	2021.3 期
売上高		114	9	110	202	150	221
損失		1,451	861	1,130	393	233	293

直近5期の連結業績推移

(百万円)



貸借対照表・財務状況

- ・資産の9割は研究開発の原資である現預金残高
- ・相対するのは剰余金等の純資産

<前期比増減トピックス>

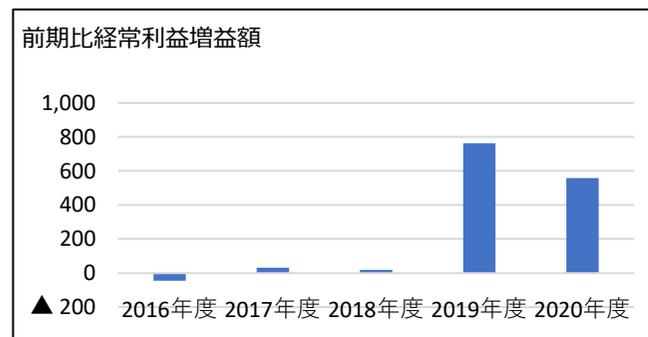
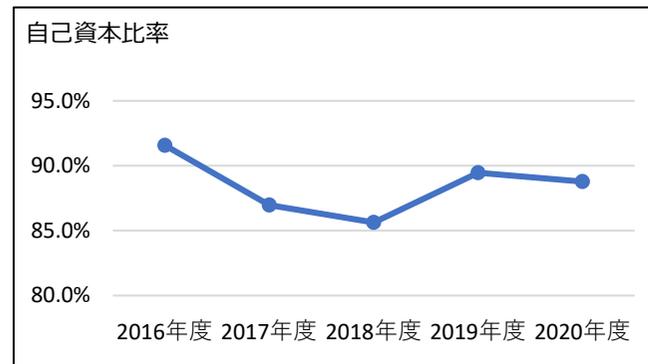
減資による減少

当期損失による減少

当期損失+減資振替

連結貸借対照表 (2021年3月期)

	資産	負債・純資産
合計 3,368百万円		負債, 291
		資本金, 50 (前期比▲1,370)
		その他純資産, 3,027 (前期比▲281)
		・資本剰余金 24,054
		・利益剰余金 ▲21,114
	現預金, 2,899 (前期比▲1,815)	
	その他流動資産, 295	
	固定資産, 174	



※2021/4/12大和証券への第三者割当による42.9億円（概算/行使価格修正前）の資金調達を公表済
https://www.oncotherapy.co.jp/wp-content/uploads/2021/04/210412_01.pdf

開発パイプライン（2021.5現在）

治験薬	種類/ 作用機序	対象疾患	開発ステージ				開発国/ 地域	導出先 etc.
			非臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
S-588410	がんワクチン	食道がん	P3登録完了				日本	塩野義製薬株式会社
S-588410	がんワクチン	膀胱がん	P2終了				日本/欧州	塩野義製薬株式会社
S-488210	がんワクチン	頭頸部がん	P1終了				欧州	塩野義製薬株式会社
S-588210	かんワクチン	固形がん					英国	塩野義製薬株式会社
OTSGC-A24	がんワクチン	胃がん					シンガポール/韓国	医師主導治験
OTSA101	FZD10抗体 (⁹⁰ Y標識)	滑膜肉腫					日本	
KHK6640	Aβ抗体	アルツハイマー型 認知症					欧州/日本	協和キリン株式会社
OTS167	低分子 MELK阻害剤	白血病					米国	
OTS167	低分子 MELK阻害剤	乳がん					米国/日本	
OTS964等	低分子 TOPK阻害剤	—					—	

注：創薬研究領域では、複数のがん特異的蛋白質を標的とする低分子化合物の新規化合物合成と構造活性相関研究を進行中

2021年3月期下半期トピック

- 10月
 - COVID-19に対するペプチドワクチン研究開発着手
 - 子会社CPMでCOVID-19病原体PCR検査受託開始

- 12月
 - 子宮頸がんおよび卵巣がんに対するペプチドワクチン 第Ⅱ相臨床試験(医師主導治験)に関する論文公表
 - MELK阻害剤「OTS167」乳がんに対する第Ⅰ相試験治験実施施設追加

- 2月
 - 膀胱がん患者を対象とした S-588410 第Ⅱ相臨床試験結果学会発表

- 3月
 - 胆道がんに対するペプチドワクチン OCV-C01 第Ⅱ相医師主導治験に関する論文公表
 - OTS167 および FLT3 阻害剤の急性骨髄性白血病に及ぼす相乗効果に関する非臨床論文公表
 - 子会社CPMで新型コロナウイルス変異株の検査導入

- 4月
 - がん特異的ペプチドワクチンS-588410 第Ⅲ相臨床試験進捗に伴うマイルストーン受領

MELK阻害剤 OTS167

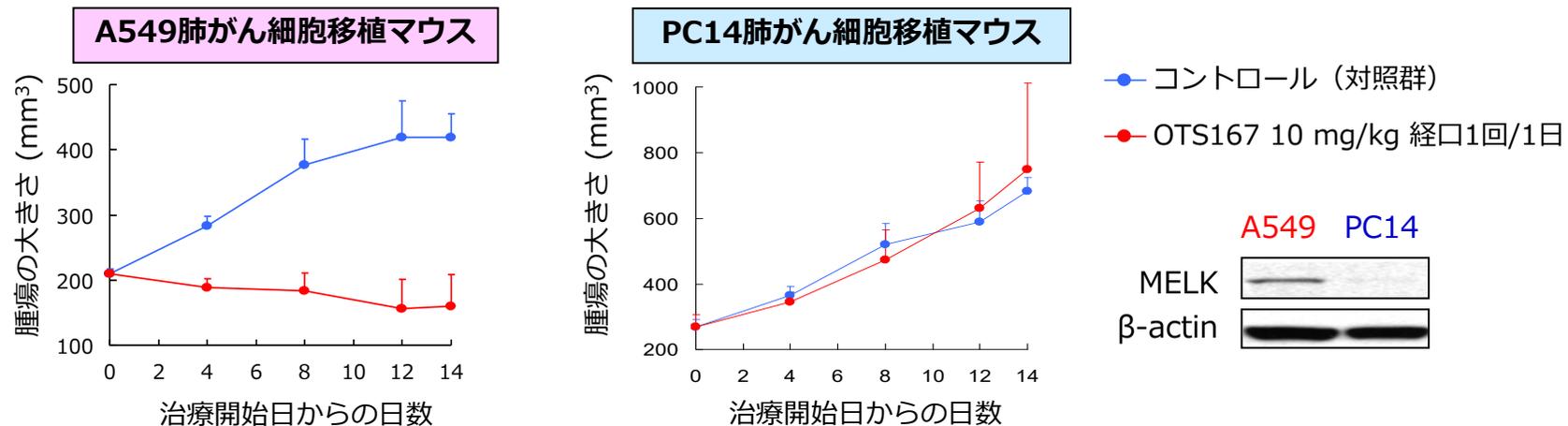
- MELK (Maternal Embryonic Leucine Zipper Kinase) は、多くのがんで高頻度に高発現している
- 精巣以外の正常組織では低発現している
- がん細胞及びがん幹細胞の増殖・生存に重要である
- MELK阻害剤OTS167は、ヒトがん細胞移植モデル (マウス) でMELK特異的かつ強い抗腫瘍効果を認めている

MELKに対して高い阻害活性

OTS167 IC₅₀ = 1.1 nM

*IC₅₀; 半数阻害濃度。低い値を示す程阻害剤としての効果が高いとされる。

MELK特異的な抗腫瘍効果



出典 : Chung et al., *Oncotarget*. 2016、OTS社内資料

OTS167乳がんに対する第 I 相臨床試験進捗

- 2017年5月乳がん患者を対象とした第 I 相試験の患者登録開始
(Clinical Trials登録ID : NCT02926690)
- 経口投与での安全性・忍容性確認が主目的

ステージ	第 I 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	アメリカ MDアンダーソンがんセンター 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 日本国内の治験実施施設追加

- カプセル剤 (経口) として、より早く治験結果が得られるように進めていく

(※) トリプルネガティブ乳がん : エストロゲン受容体・プロゲステロン受容体・HER2 の 3 つが発現していない乳がんのこと。乳がんの約 15~20%がこのトリプルネガティブに相当する。

全世界の新規乳がん患者 : 約226万人 (2020年)、女性のがんでは1位 (最多割合) として、全がん死亡の1/6に該当
治療法 : 外科療法、放射線療法、薬物療法 (化学療法、ホルモン療法など)

出典 : GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin. 日本乳癌学会 乳癌診療ガイドライン 15

OTS167血液がんに対する第 I / II 相臨床試験

- 2016年8月血液がん患者を対象とした第 I / II 相試験開始
(Clinical Trials登録ID : NCT02795520)
- 静脈内反復投与での安全性、最大耐量確認が主目的

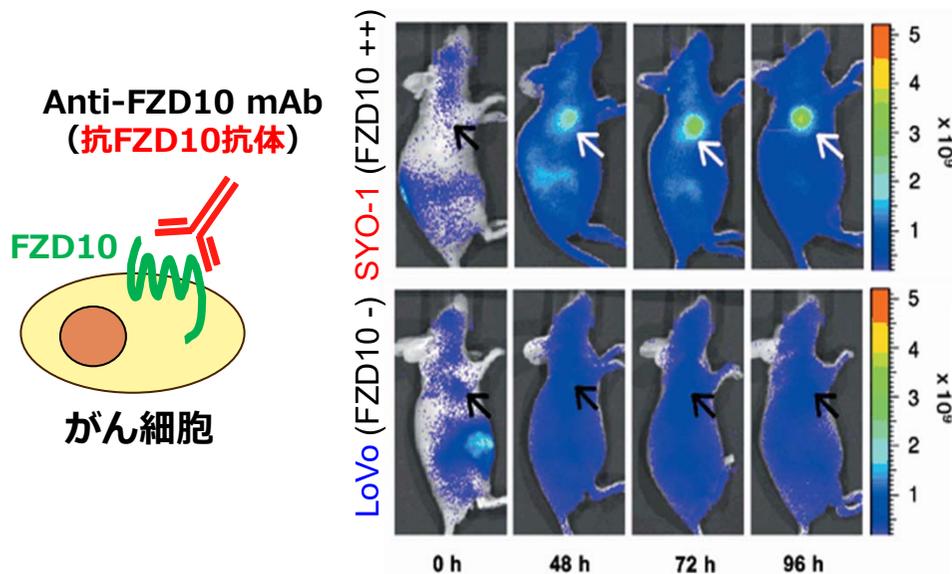
ステージ	第 I / II 相
対象疾患	治療不応・再発白血病 (急性骨髄性白血病、急性リンパ性白血病、慢性骨髄性白血病、骨髄異形成症候群、骨髄増殖性腫瘍)
投与経路	静脈内
治験実施施設	シカゴ大学、コーネル大学 (アメリカ)

全世界の新規白血病患者：約48万人（2020年）、国内では年間約1万5千人が新たに診断される予想（2020-2024年）
治療法：薬物療法（化学療法、分子標的治療など）、造血幹細胞移植

出典：GLOBOCAN 2020, Sung et al., CA Cancer J Clin.
国立がん研究センターがん情報サービス「がん登録・統計」

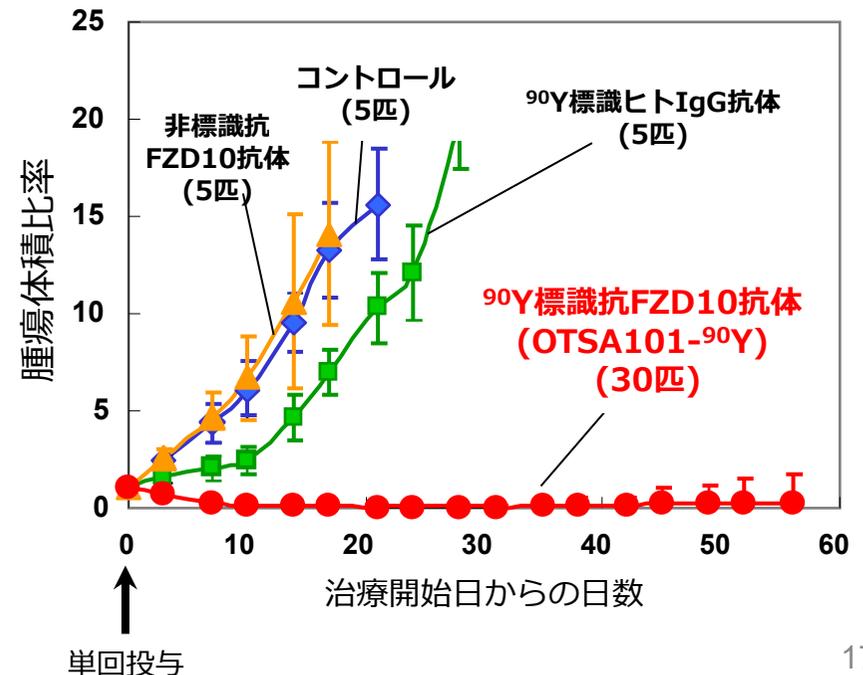
抗FZD10抗体 OTSA101

- FZD10 (Frizzled Homolog 10) は滑膜肉腫に特異的かつ高頻度の高発現して、細胞膜に発現している
- 胎盤以外の正常臓器では発現していない
- FZD10をターゲットとした抗体 (抗FZD10抗体) は、生体内でFZD10 陽性滑膜肉腫へ特異的に集積する
- 放射性核種である ^{90}Y を結合させたOTSA101 (OTSA101- ^{90}Y) は、滑膜肉腫細胞移植マウスに対して強い抗腫瘍効果を示す



出典 : Furukawa et al., *Cancer Sci.* 2008、OTS社内資料

ヒト滑膜肉腫細胞(SYO-1)を移植したマウス



OTSA101滑膜肉腫に対する第 I 相臨床試験

- 2020年1月滑膜肉腫患者を対象とした国内第 I 相試験開始
(Clinical Trials登録ID : NCT04176016)
- 放射線同位元素を結合したOTSA101投与における安全性及び体内薬物動態の確認が主目的

ステージ	第 I 相
対象疾患	難治性または再発性滑膜肉腫
投与経路	静脈内
治験実施国	日本 フランスにおいて医師主導による第I相臨床試験を実施し、OTSA101 投与による安全性と体内集積について良好な結果を確認しております。なお、OTSA101 は米国食品医薬品局 (FDA) 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) に指定されております。

- 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

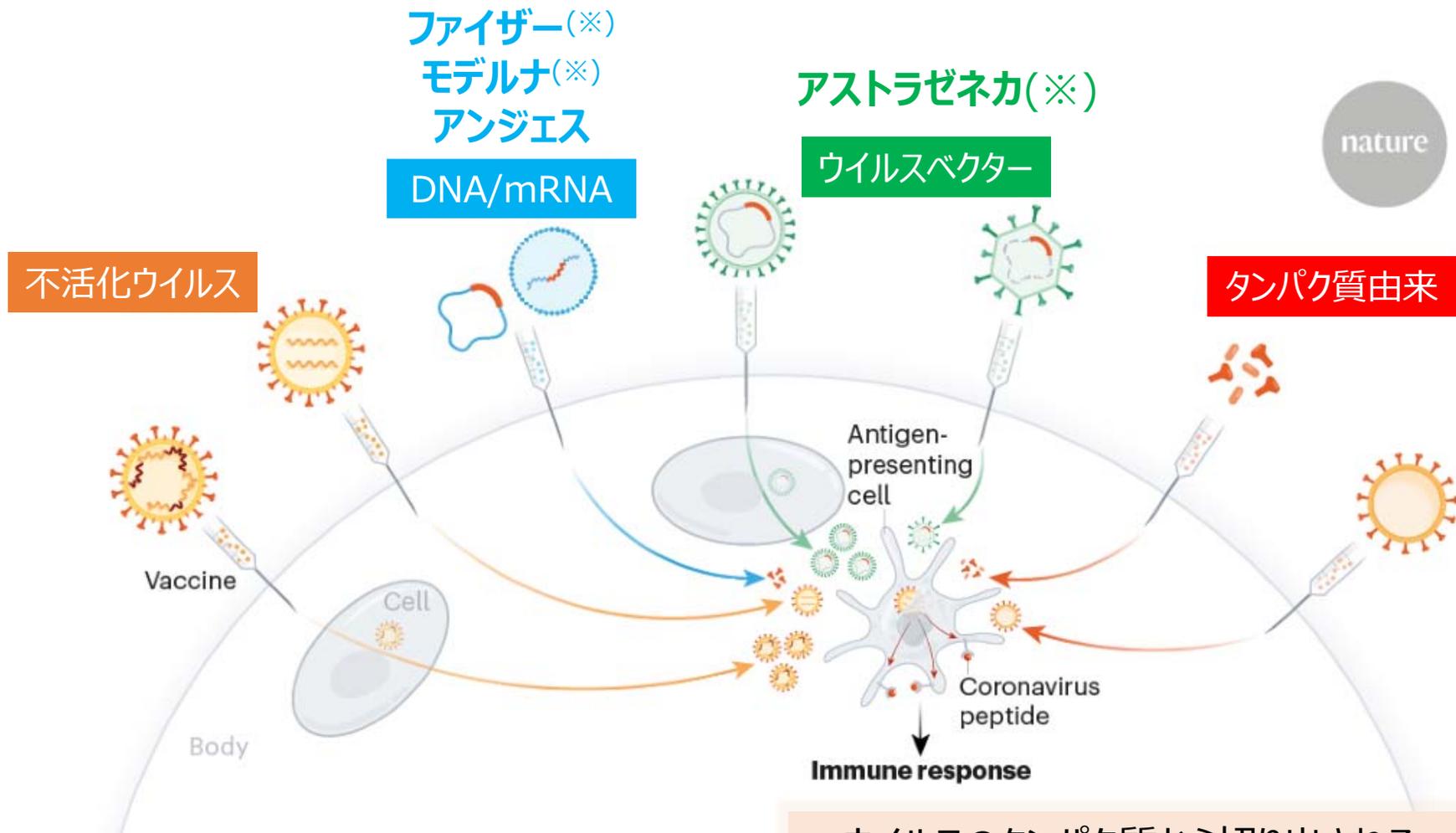
滑膜肉腫は皮下組織や筋肉などの軟部組織から発生する、発症頻度は少ない「希少がん」の一つ

新規滑膜肉腫患者：人口100万人あたり1～3例の発生で、年間アメリカでは800人、国内では100人程度の発生が予想

治療法：外科療法、放射線療法、薬物療法 (化学療法)

出典：(米) セントジュード小児研究病院 / 国立がん研究センター 希少がんセンター

新型コロナウイルスのワクチン開発の動向



出典 : News Feature, *Nature* 580, 576-577 (2020)

(※) 国内で特例承認

ウイルスのタンパク質から切り出される短いペプチド(エピトープ)が抗原提示され液性免疫や細胞性免疫反応を誘導

新たな変異株による懸念

感染性の増加が懸念される、**英国**や**南アフリカ**で報告されていたものと共通の変異を一部に有する新たな変異株が、**ブラジル**からの帰国者から検出された。



コロナウイルス
スパイクタンパク

イギリス VOC 202012/01, B.1.1.7 7ヶ所のアミノ酸置換	68-70 del	144-145 del	N501Y	A570D D614G	P681H T716I
南アフリカ VOC 501Y.V2, B.1.351 IC-0413 7ヶ所のアミノ酸置換	D80A	242-245 del R246I	K417N E484K N501Y	D614G A701V	
ブラジル 新規変異株 B.1.1.248 Spike に12ヶ所のアミノ酸置換	L18F T20N P26S	D138Y R190S	K417T E484K N501Y	D614G H655Y	

検出されたウイルス
遺伝子の変異

出典：国立感染症研究所の公開情報（2021年1月10日）

<https://www.niid.go.jp/niid/ja/diseases/ka/corona-virus/2019-ncov/10107-covid19-33.html>

インド型変異株（B.1.617 系統） が国内例としては初めて検出された。

出典：国立感染症研究所の公開情報（2021年4月26日）

<https://www.niid.go.jp/niid/ja/diseases/ka/corona-virus/2019-ncov/2551-lab-2/10326-covid19-43.html>

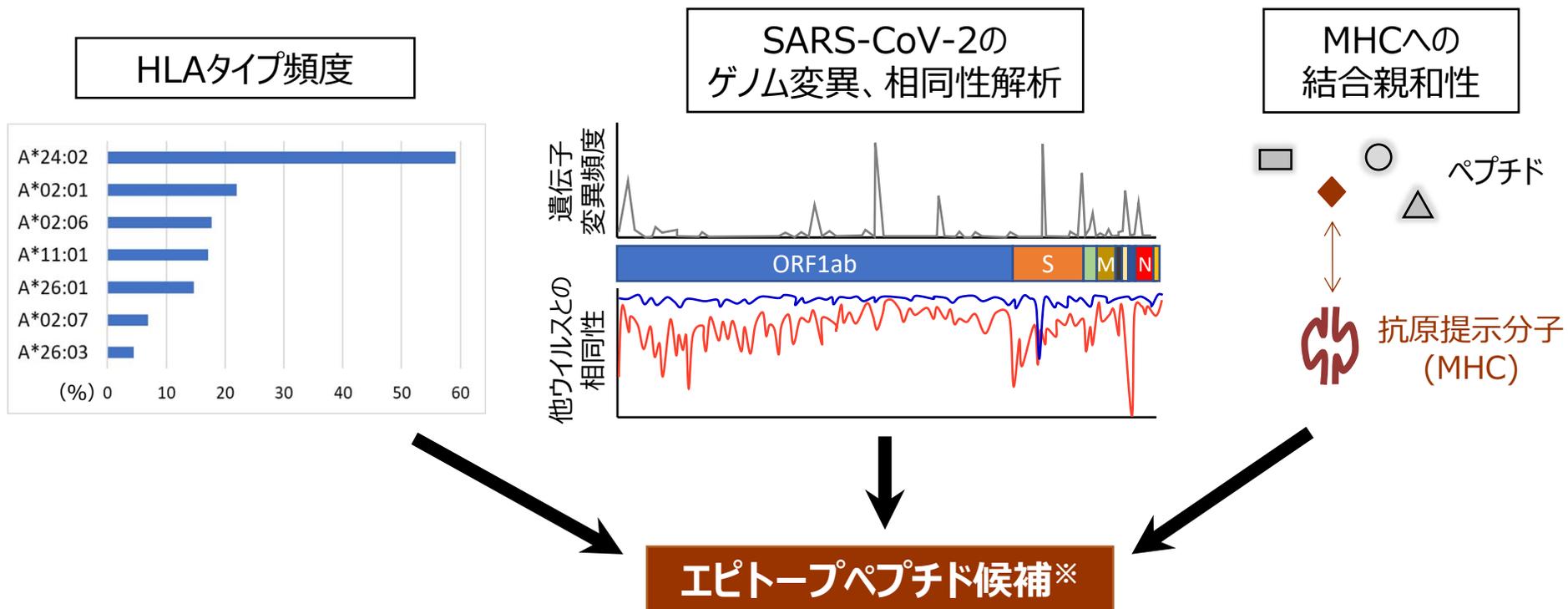
スパイクタンパクの主な変異部位

E484Kの変異：新型コロナウイルスに対して中和抗体による免疫効果が減弱する懸念。

N501Yの変異：感染細胞受容体への結合親和性が増加して、ウイルスの感染力を高める懸念。

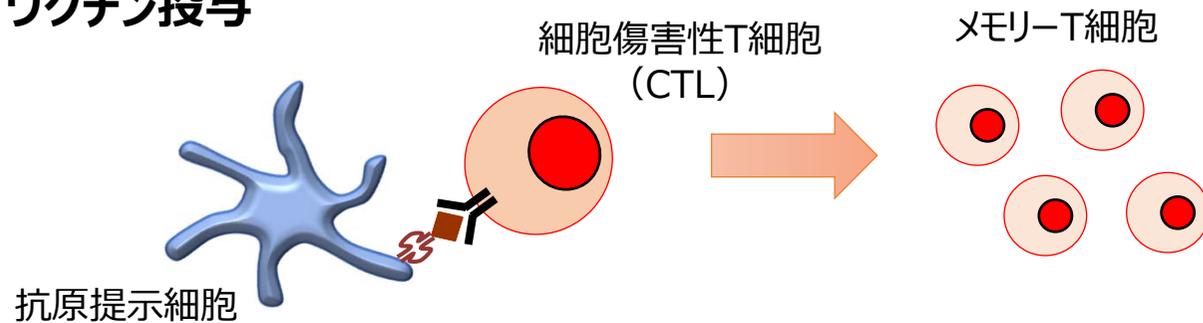
E484Q, L452Rの変異：感染・伝播性の増加や、中和抗体による免疫から回避につながる懸念。

COVID-19に対するペプチドワクチン研究開発



ペプチドワクチンがCTLを誘導し、CTLの一部がウイルス感染細胞を傷害する機能を維持したままメモリーT細胞として長期間体内に存在することで、新型コロナウイルス (SARS-CoV-2) に感染した場合、迅速で効果的な感染制御や重症化の抑制が期待される。

ワクチン投与



※特許出願完了 (出願国: 日本)
「SARS-CoV-2 蛋白由来ペプチドおよびそれを含むワクチン」

COVID-19に対するペプチドワクチンの特許出願

特許出願番号：**特願2020-164630**

発明の名称：**SARS-CoV-2蛋白由来ペプチドおよびそれを含むワクチン**

概要：新型コロナウイルス感染制御及び重症化の抑制効果が期待されるSARS-CoV-2蛋白由来ペプチドワクチン

出願日：2020/9/30

特許出願番号：**特願2021-000382**

発明の名称：**SARS-CoV-2蛋白由来ペプチドおよびそれを含むワクチン**

概要：新型コロナウイルス感染制御及び重症化の抑制効果が期待されるSARS-CoV-2蛋白由来ペプチドワクチン（上記出願とは異なるHLA拘束性ペプチド）

出願日：2021/1/5

今後の開発方針

- ・他のワクチンとの差別化を含む非臨床研究の推進
- ・他社とのパートナーリング

企業・団体向けCOVID-19病原体PCR検査

経済活動の再開やイベント開催等にあたり、関係者が感染していないことを確認するための検査を定期的実施するニーズが発生



企業や団体、教育現場等での不安解消・活動環境の改善や、リスク管理の一環のために、唾液を用いたPCR検査受託を開始

<検査方法>

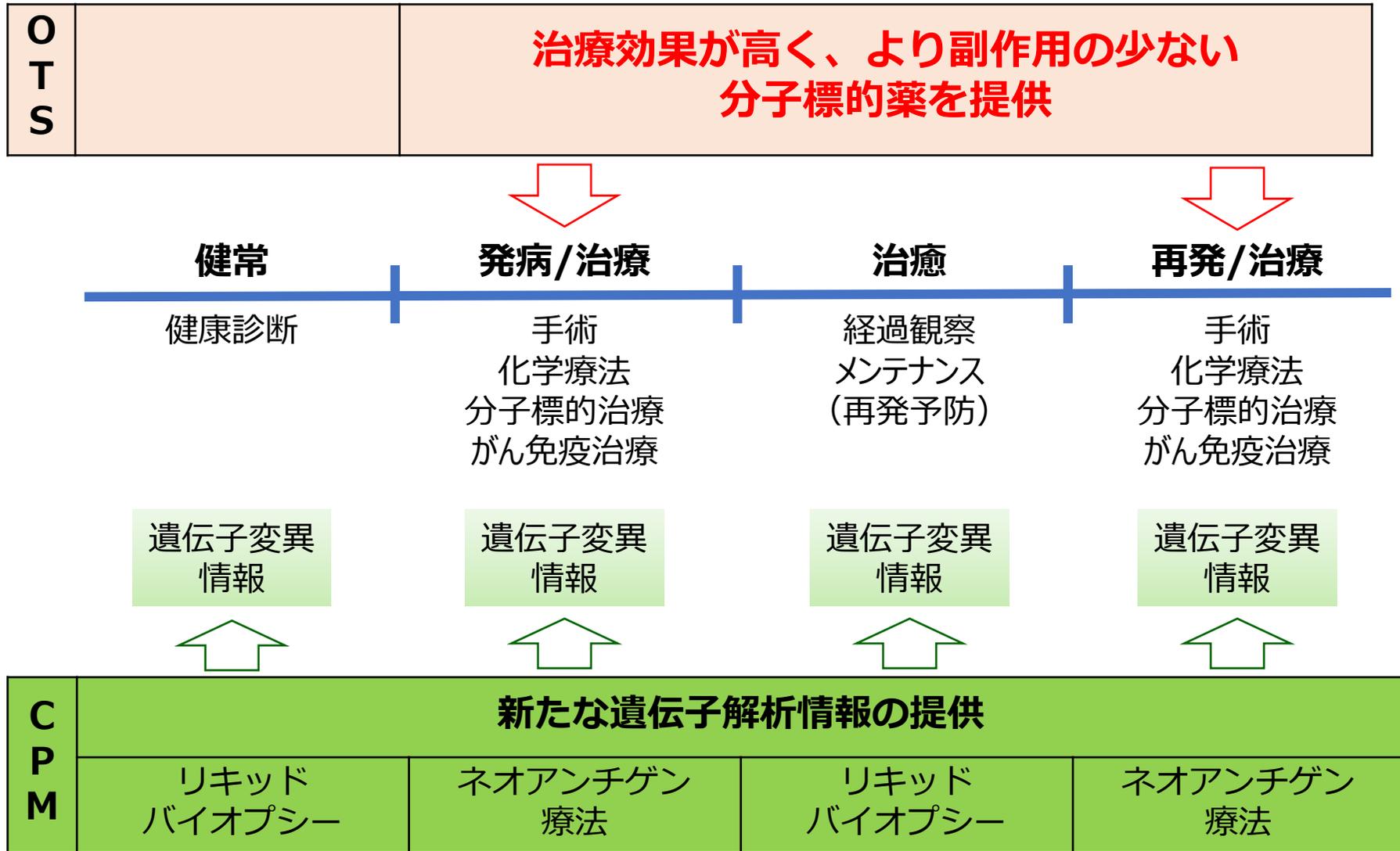


ウイルス核酸 (RNA)
の抽出

※RT-PCR法：逆転写酵素 (reverse transcriptase) を用いて微量なRNAからcDNAに合成した後、cDNAを検出可能な濃度まで増幅して解析する方法

日本国内で感染の急拡大が懸念される英国、南アフリカ、ブラジル由来などの変異株を特定するためのPCR 検査も導入済

当社グループ目標への包括的アプローチ



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。