



2024年11月7日

各 位

会 社 名 オンコリスバイオフーマ株式会社  
代 表 者 名 代表取締役社長 浦田 泰生  
(コード番号：4588)  
問 合 せ 先 執 行 役 員 秦 耕 平  
(TEL.03-5472-1578)

## Annual ALS Research Symposium における OBP-601 の C9-ALS (筋萎縮性側索硬化症) Phase2a 試験に関する結果報告のお知らせ

当社が Transposon Therapeutics, Inc. (以下、「Transposon 社」) と全世界のライセンス契約を締結している LINE-1 阻害剤 OBP-601 (censavudine, TPN-101) に関し、C9-ALS (C9orf72 変異型 筋萎縮性側索硬化症) 及び C9-FTD (同 前頭側頭型認知症) を対象とした Phase 2 a 臨床試験 (以下、「本試験」) の結果について、[7TH ANNUAL ALS RESEARCH SYMPOSIUM](#) (期間：2024年11月13日(水)～11月15日(金)) において同社が発表を行いますので、お知らせいたします。

### 【演題】

A Phase2a Study of TPN-101, A Nucleoside Reverse Transcriptase Inhibitor, in Patients with C9ORF72-Related ALS/FTD

(訳)

C9ORF72 変異型 ALS/FTD 患者を対象としたヌクレオシド系逆転写酵素阻害剤 TPN-101 の Phase 2 a 試験

### 【発表概要】

TPN-101 は、神経変性及び神経炎症に関する主要なバイオマーカーである脳脊髄液中のニューロフィラメント軽鎖 (NfL) やインターロイキン6 (IL-6) などを低下させる効果を示しました。また、TPN-101 によって、ALS の臨床的な重症度、疾患進行の評価尺度である改訂版 ALS 機能評価尺度 (ALSFRS-R) や、ALS の主要な臨床転帰尺度である肺活量にも改善効果を示しました。

### 【演者】

Andrew Satlin, MD (Transposon 社 Chief Medical Officer)

### 【発表日時】

2024年11月14日(木) 14:00～14:20 (米国東部時間)

本シンポジウムは、マサチューセッツ総合病院 Sean M Healey & AMG センター、UMass Memorial Medical School、ALS Therapy Development Institute の専門家で構成される ALS ONE リサーチチームにより主催され、世界中の ALS に関する最新の治療法や研究成果が共有されます。なお、本シンポジウムはオンライン (Zoom) で開催され、臨床医や研究者のみならず、患者さまやそのご家族を含む一般の方も視聴可能です ([登録 URL](#))。

本件による 2024 年 12 月期の当社業績への影響はありません。

以上

### **C9-ALS/FTD を対象とした Phase 2 a 臨床試験について**

C9-ALS/FTD を対象とした Phase 2 a 臨床試験は、多施設、無作為化、二重盲検、プラセボ対照の 2 群試験です。治験に参加した 42 名の患者は、OBP-601 (TPN-101) 400 mg またはプラセボを 1 日 1 回投与されるよう 3 対 2 の比率で無作為に割り付けられました。本試験には 6 週間のスクリーニング期間、24 週間の二重盲検期間、24 週間のオープンラベル期間、及び治療後 4 週間のフォローアップ期間が含まれていました。試験の詳細は [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov) で確認できます。

### **OBP-601 (TPN-101) について**

OBP-601 (TPN-101) は、LINE-1 逆転写酵素を特異的に阻害し、LINE-1 の複製を抑制します。LINE-1 は、ヒトのゲノム内で複製され、移動する能力を持つレトロトランスポゾンの一類です。このプロセスが制御不能になることにより、LINE-1 逆転写酵素が LINE-1 cDNA を過剰に生成し、神経変性、神経炎症、加齢関連疾患の病理に寄与する自然免疫応答を引き起こします。

### **ALS と FTD について**

ALS は、進行性の筋力低下が主体となり、話すこと、食べること、動くこと、呼吸すること等に関する運動機能低下を特徴とする神経変性疾患です。また、FTD は、行動障害や人格変化、感情鈍麻、歩行障害などを主症状とする神経変性疾患です。C9orf72 変異は、両疾患の 10~15% を占めており、ALS 患者の平均生存期間は 2~5 年、FTD 患者の平均生存期間は 6~9 年とされています。