



2025年5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)

お問い合わせへの回答に関するお知らせ

当社は、株主各位や投資家各位など当社にご関心をお寄せいただいているステークホルダーの皆さまへ公平な情報開示を行っていくために、お問い合わせ頂いたご質問を抜粋して、まとめて回答を差し上げています。

1. お問い合わせへの回答

【ご質問①】

OBP-601 が Alzheimer's Drug Discovery Foundation (アルツハイマー病治療薬 探索財団) の HP に掲載されました。トランスポゾン社のアルツハイマー病での開発見通しを教えてください。

A : OBP-601 は Phase 2 試験で、タウ蛋白質の脳内蓄積に関連した病態である進行性核上性麻痺 (PSP) や TDP-43 蛋白質に関連した病態である筋萎縮性側索硬化症 (ALS) に対して有効性を示しました。

トランスポゾン社は、これらの結果から、タウ蛋白質および TDP-43 蛋白質に関連した病態であるアルツハイマー病に対しても OBP-601 は同様に炎症性神経変性を抑制し、有効性を示す可能性があると考えており、当社もこの見解を支持しています。

この仮説を検証するために、トランスポゾン社はアルツハイマー病 Phase 2 試験の試験計画を立て 2025 年 4 月に Alzheimer's Drug Discovery Foundation (ADDF : アルツハイマー病治療薬 探索財団) から約 500 万ドルを獲得できることになりました。

トランスポゾン社は PSP や ALS を対象とした大規模な臨床試験と並行して、年内に米国でアルツハイマー病患者を対象とした Phase 2 試験開始を規制当局 FDA に申請し、患者登録を開始する計画です。

【ご質問②】

トランスポゾン社のアイカルディ・ゴージェイエ症候群（AGS : Aicardi-Goutières Syndrome）に関する開発計画を教えてください。

A : トランスポゾン社は 2023 年 7 月から AGS 患者を対象とした Phase 2 試験を欧州で実施していました。同臨床試験は患者の年齢層別に 4 つのステージに分けて設計されており、効果安全性評価委員会（DSMB : Data & Safety Monitoring Board）による客観的な評価を行い、ステージを順次クリアしながら小児を中心とした AGS Phase 2 試験を進めていました。

しかし、このたびトランスポゾン社は OBP-601 の開発戦略を見直し、進行性核上性麻痺（PSP）や筋萎縮性側索硬化症（ALS）の開発に加えてアルツハイマー病の開発を優先させるため、AGS の優先順位は相対的に低下することになりました。今後 AGS の臨床試験結果を最終化させていく予定です。これまでに、安全性や有効性などの理由によって OBP-601 の AGS に対する開発を中断させるべき事象は報告されていません。

2. 免責事項

- ① 業務上の守秘義務やインサイダー情報管理の観点から、お問い合わせいただく全てのご質問に回答することは難しく、よくいただくお問い合わせを抜粋の上、本資料にまとめています。
- ② 本内容につきましては、本回答時点での当社の状況及び予測に基づいており、将来にわたって正確性が約束されたものではありません。何卒ご理解賜りますよう宜しくお願いいたします。
- ③ 医薬品（開発中のもも含む）に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。

3. その他

当社が発信する各種情報を受領いただくために、メール配信のご登録をお願いします。

https://www.oncolys.com/jp/ir_mail.html

以 上