



2023年11月15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 取 締 役 吉村 圭司  
(TEL.03-5472-1578)

## AD/PD 2024 (国際アルツハイマー・パーキンソン病学会) における OBP-601 の進行性核上性麻痺 Phase2a 試験に関する中間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核酸系逆転写酵素阻害剤 OBP-601 (censavudine, TPN-101) に関し、同社が開発費の全額を負担して進めている「進行性核上性麻痺 (PSP : Progressive Supranuclear Palsy)」を対象とした Phase 2 a 臨床試験 (以下、「本試験」) の中間結果について、AD/PD 2024 (開催地 : リスボン、期間 : 2024 年 3 月 5 日 (火) ~ 3 月 9 日 (土)) で発表することが決定しましたので、お知らせいたします。

### 【サマリー】

1. 本試験の 24 週データによると、OBP-601 は PSP やアルツハイマー病などタウオパチー<sup>※1</sup>の主要なバイオマーカーである NfL<sup>※2</sup>を、PSP において減少させる初の治療法であることが示唆されました。
2. OBP-601 は、疾患の重症度と関連する神経炎症のバイオマーカーであり、PSP 患者で増加する IL-6 を低下させることも確認されました。
3. OBP-601 は、1 日 1 回経口投与され、高い忍容性が確認されました。

#### ※1 タウオパチー

アルツハイマー病や PSP など、神経細胞内のタウ蛋白質が異常に凝集蓄積することにより神経原線維が変化する神経変性疾患の総称。現在、これら神経変性難病の明確な発症機序は解明されていないが、タウオパチーは世界中で多くの患者さまが治療薬を待ち望まれているアンメットメディカルニーズであり、タウを標的とする治療薬開発は国内外各社で注力領域として進められている。

#### ※2 ニューロフィラメント軽鎖 (Neurofilament Light : NfL)

神経系の機能維持に関与している神経細胞の蛋白質であり、神経細胞の軸索に発現している。NfL は、臨床的にアルツハイマー病やパーキンソン病、筋萎縮性側索硬化症 (ALS) などに関連するバイオマーカーとして知られている。

### 【当社代表取締役社長 浦田泰生によるコメント】

「今回の結果は、OBP-601 がレトロトランスポゾン転移を促進する LINE-1 の阻害剤として脳神経系で明らかに作用していることが示されました。特に脳脊髄液中の NfL 濃度を下げる効果は大きな臨床上の有効性を示す結果であり、また脳脊髄液中の炎症性サイトカインである IL-6 を低下させる働きは、PSP など神経変性疾患における炎症性病変の進展を抑制できる可能性があり、重要なエビデンスとなる可能性があります。今後の長期投与による臨床試験結果が待たれます。」

【Transposon 社の Andrew Satlin, M.D., Chief Medical Officer によるコメント】

"No previously tested drug has shown an effect on NfL levels in patients with PSP, a progressive neurological disorder with no approved treatment options to stop or even slow progression of the disease. The lowering of CSF NfL levels seen in this interim analysis provides biomarker evidence of a treatment effect on neurodegeneration. We are excited about the potential of TPN-101 as a much-needed treatment option for patients with PSP. In addition, we believe these findings open the door to an entirely new therapeutic approach to treating Alzheimer's and other neurodegenerative diseases."

(訳)

「これまでに試みられた如何なる薬も、PSP 患者において NfL 値を減少させることは出来ませんでした。PSP は承認された治療法がなく、病気の進行を止めることも遅らせることも出来ない進行性の神経疾患です。今回の中間解析で確認された脳脊髄液における NfL 値の減少は、神経変性疾患に対する治療効果を示す根拠となるバイオマーカーデータとなります。私たちは、OBP-601 が PSP 患者にとって必要な治療選択肢となりうる可能性があることに興奮しています。さらに、今回得られた知見はアルツハイマー病や他の神経変性疾患の治療において、従来とは全く異なる新しい治療法への道を切り拓くものであると信じています。」

【Transposon 社の Dennis Podlesak, Chairman and Chief Executive Officer によるコメント】

"The Transposon team continues to make excellent progress against our key development milestones and corporate priorities, and we look forward to presenting these interim results from our PSP program at the AD/PD 2024 International Conference on Alzheimer's and Parkinson's Diseases," said of Transposon. "Beyond the promising reduction in NfL levels seen in our PSP study, we also look forward to reporting data from our three ongoing Phase 2 programs of TPN-101 in the first quarter of 2024 and, importantly, to expanding our development efforts for the compound into Alzheimer's disease and other neurodegenerative and autoimmune disorders. "

(訳)

「Transposon 社は、主要な開発目標や優先度の高い企業活動に対して優れた進捗を続けており、今回得られた PSP 試験中間結果を AD/PD 2024 国際アルツハイマー・パーキンソン病学会で発表することを楽しみにしています。本試験で見られた NfL 値の減少という有望な結果に加えて、2024 年第 1 四半期には現在進行中である 3 つの OBP-601 第 2 相臨床試験<sup>※3</sup>のデータも報告いたします。さらに重要なこととして、OBP-601 をアルツハイマー病や他の神経変性疾患、自己免疫疾患の治療へと開発対象を拡大していくことを楽しみにしています。」

※3 現在進行中の 3 つの臨床試験

- ① 進行性核上性麻痺 (PSP)
- ② C9 変異筋萎縮性側索硬化症／前頭側頭型認知症 (C9-ALS/FTD)
- ③ アイカルディ・ゴーティエ症候群 (AGS)

なお、本件による 2023 年 12 月期の当社業績への影響はありません。

以上