



2024年5月22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)

進行性核上性麻痺（PSP）における OBP-601 (censavudine, TPN-101) の ファストトラック指定に関するお知らせ

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) が米国食品医薬品局 (FDA) により進行性核上性麻痺 (PSP : Progressive Supranuclear Palsy) に対してファストトラックに指定 (Fast Track designation) されましたので、以下のとおりお知らせいたします。

FDA のファストトラック指定は、アルツハイマー病を含む神経難病などアンメット・メディカル・ニーズの高い重篤な疾患に対する新薬の開発を促進し、迅速に審査することを目的とした制度です。本指定により、FDA との間でより一層、連携が強化され、未だ根本的な治療法のない疾患にお困りの患者さまに対する医薬品の開発が迅速化される可能性があります。

OBP-601 は、PSP に対してランダム化プラセボ対象二重盲検 Phase2a 臨床試験 (以下、本試験) を実施した結果、脳脊髄液中で、PSP 治療における主要な神経変性疾患のバイオマーカーであるニューロフィラメント軽鎖 (Neurofilament light chain : NfL) レベルを低下させた最初の治療薬であることが確認されました。また、OBP-601 は PSP の進行と重症度に関連する神経炎症のバイオマーカーであるインターロイキン 6 (IL-6) レベルを用量依存的に低下させることも示しています。さらに 48 週間の全試験期間に渡って OBP-601 による治療を受けた患者群では、PSP 臨床評価スケール (PSPRS) において 24 週後から 48 週後にかけて臨床症状が安定化することが示されました。

【当社代表取締役社長 浦田泰生によるコメント】

「PSP に対する Phase 2 臨床試験の成績は、OBP-601 が LINE-1 阻害剤として脳神経の炎症を抑制し、神経の損傷を確実に抑制したという画期的な結果です。今回の FDA によるファストトラック指定は、難治性神経疾患である PSP 治療に対する OBP-601 への大きな期待を示すものであり、1 日も早く PSP 患者様の治療に役立てられるように開発が加速されることを期待します。」

【Transposon 社の会長兼最高経営責任者である Dennis Podlesak 氏のコメント】

"Fast Track designation for TPN-101 is an important acknowledgement by the FDA of the critical need to find an effective treatment for PSP, a rare and devastating neurological disorder with no approved treatment options. We look forward to working collaboratively with the FDA to advance the

development of TPN-101 as rapidly as possible for the treatment of PSP and other neurodegenerative diseases."

(参考訳)

「TPN-101 のファストトラック指定は、PSP という未だ根本的な治療がなく、希少かつ深刻な神経変性疾患に対する効果的な治療を見つける必要性を FDA が重要視していることを表しています。FDA の協力のもと、PSP や他の神経変性疾患の治療のために、TPN-101 の開発が可能な限り迅速に進められることを楽しみにしています。」

なお、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