



# 2025年9月期第1四半期決算について

2025年2月7日

**クリングルファーマ株式会社**

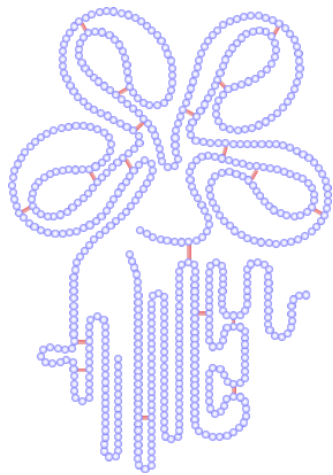
(東証グロース：4884)

- 本資料には、将来の見通しに関する記述が含まれています。これらの記述は、当該記述を作成した時点における情報に基づいて作成されたものです。さらに、こうした記述は、将来の結果を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包するものです。実際の結果は環境の変化などにより、将来の見通しと大きく異なる可能性があることにご留意ください。
- 本資料は、当社に関する情報の開示のみを目的として作成したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の有価証券への投資判断は、ご自身の判断で行うようお願いいたします。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、かかる情報の正確性、適切性等について当社はこれを保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。

- **会社概要**
  - 当社の特徴
  - ビジネスモデル
  - 成長戦略
- **開発パイプラインの進捗状況**
  - 2025年9月期第1四半期のトピックス
  - 脊髄損傷急性期
  - 声帯癒痕
  - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **2025年9月期第1四半期決算概況**
  - 経営成績の概況
  - 財政状態の概況

## 企業理念

難治性疾患治療薬の研究開発を行い、難病に苦しむ患者さんに対して画期的な治療手段を提供し、社会に貢献すること



再生創薬シーズ HGF

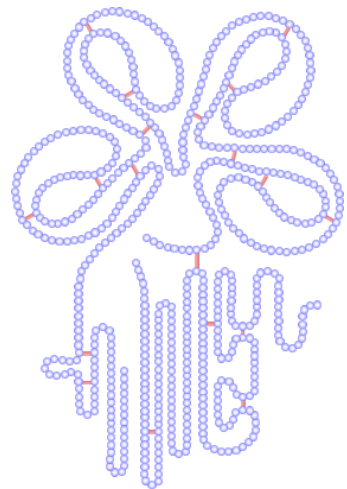
国際一般名称  
**Oremepermin Alfa**  
(オレメペルミン アルファ)



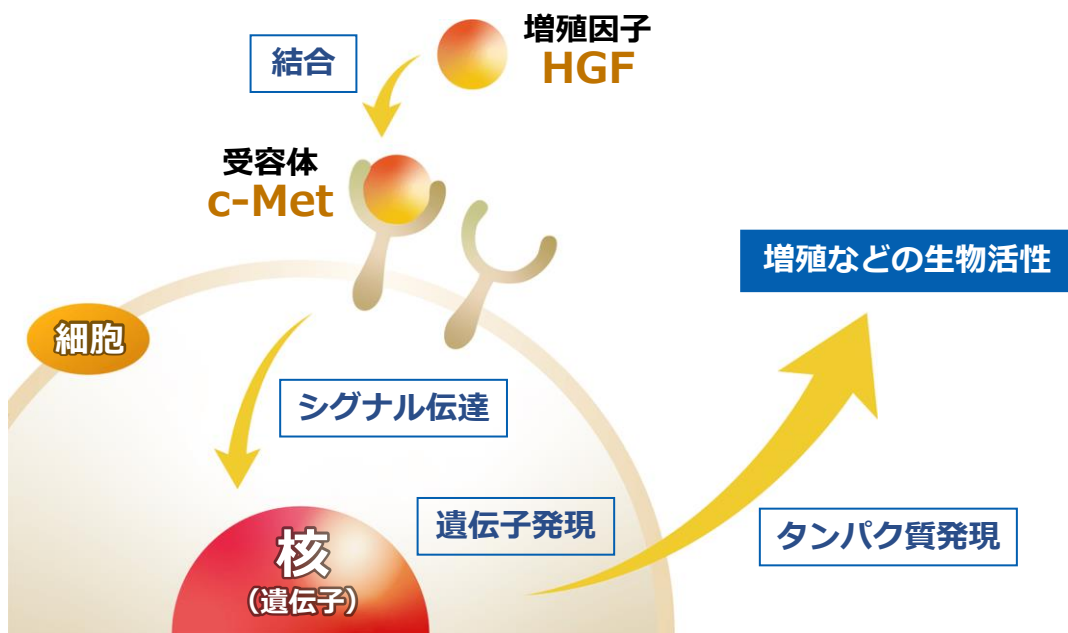
製品のイメージ (医療用医薬品)

会社名	クリングルファーマ株式会社 (証券コード：4884)
設立日	2001年12月21日 大阪大学・慶應義塾大学発 創薬バイオベンチャー
代表者	安達 喜一
本社住所	大阪府茨木市彩都あさぎ7丁目7-15 彩都バイオインキュベータ207
事業概要	HGFを医薬品とするための研究 開発、製造、販売
資本金	11百万円 (2024年12月末時点)
役員数	取締役7名、監査役3名
従業員数	17名 (2024年12月末時点)

# HGF（肝細胞増殖因子） ～難治性疾患の再生治療薬～



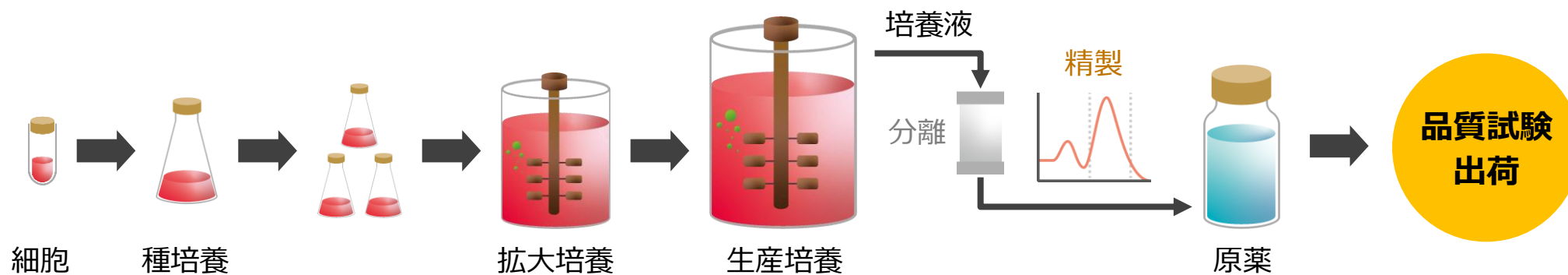
- 日本で発見された、からだの中に存在するタンパク質
- 692個のアミノ酸がつながる比較的大きな構造
- 複雑な構造（クリングル構造と言う：社名の由来）、19個の分子内架橋
- マルチな生物学的機能
- 組織・臓器を「保護」、「再生」、「修復」



# HGF再生治療薬のプラットフォーム：HGFタンパク質の量産体制

## 原薬製造

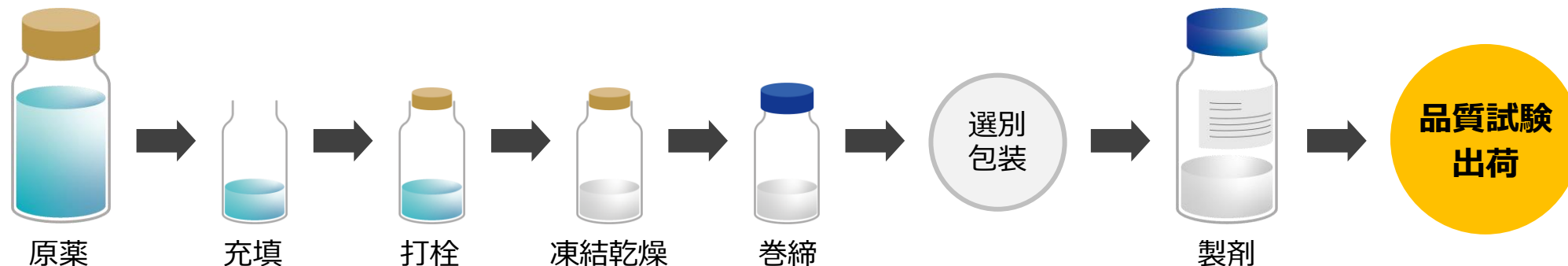
- 細胞を安定的に増殖させ、HGFを高発現させる培養工程
- 不純物を取り除き、HGFの純度を高める精製工程



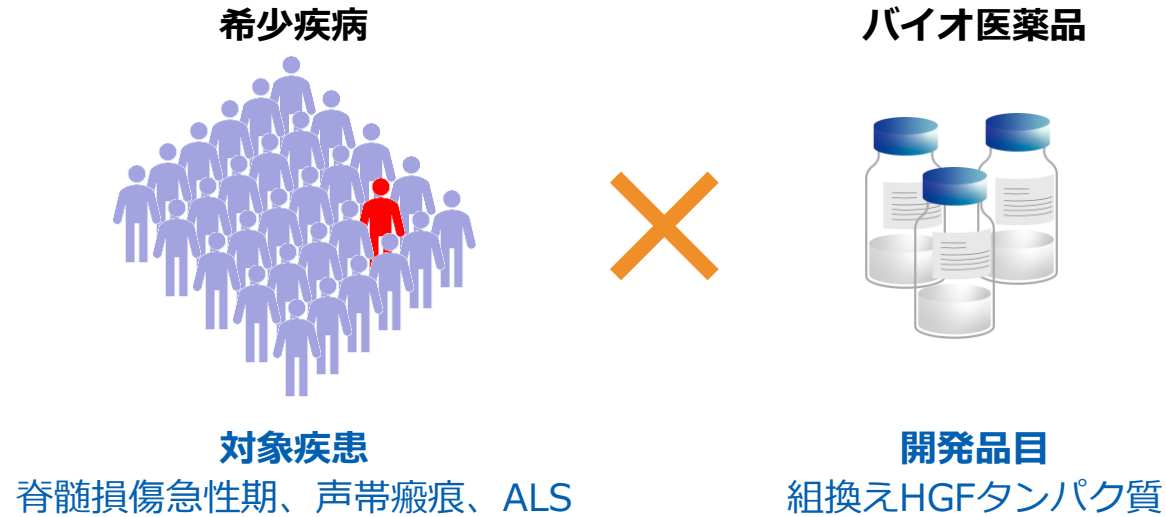
脊髄損傷での承認申請に必要とされる実製造と同様のプロセスで行う試験製造(プロセスバリデーション)終了

## 製剤製造

- HGFを長期間安定化させる製剤組成
- 用途に応じた複数の製剤組成の特許を取得



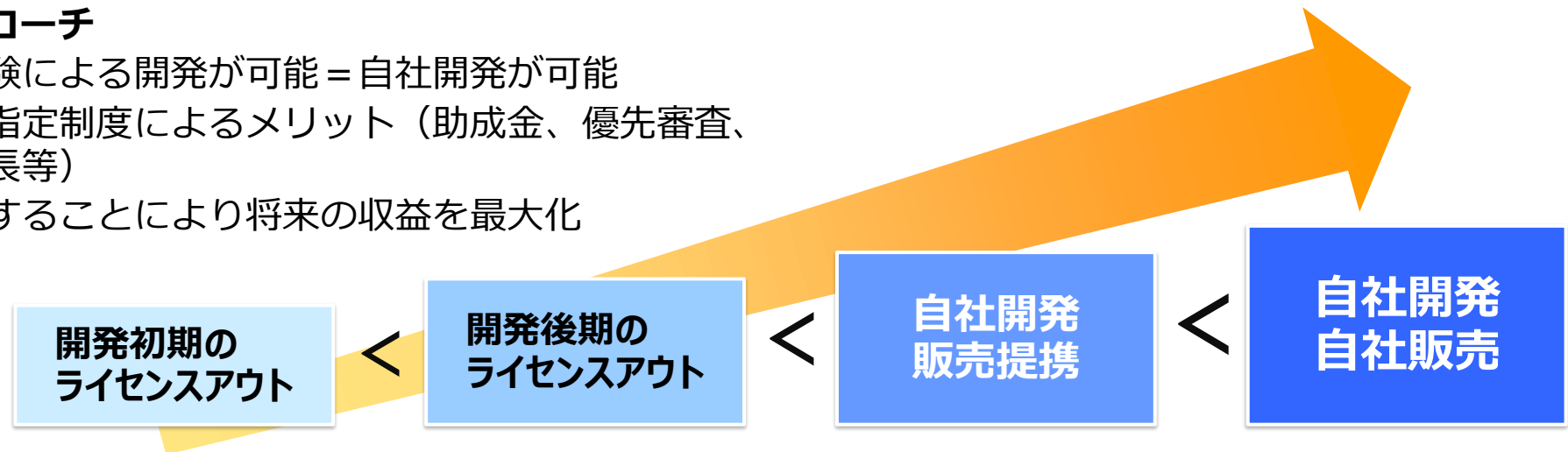
# HGF再生治療薬のプラットフォーム：希少疾病を対象とする戦略



- 希少疾病は難治性で医療上の必要性が高く新薬を開発する医学的・社会的意義は大きい
- 患者数が少なく、市場性の点などにより大手製薬企業での開発が進まず有効な医薬品、治療法が少ない
- バイオ医薬品は高薬価になるので事業性は高い

## 希少疾病へのアプローチ

- 小規模な臨床試験による開発が可能 = 自社開発が可能
- 希少疾病医薬品指定制度によるメリット（助成金、優先審査、再審査期間の延長等）
- 自社開発を推進することにより将来の収益を最大化



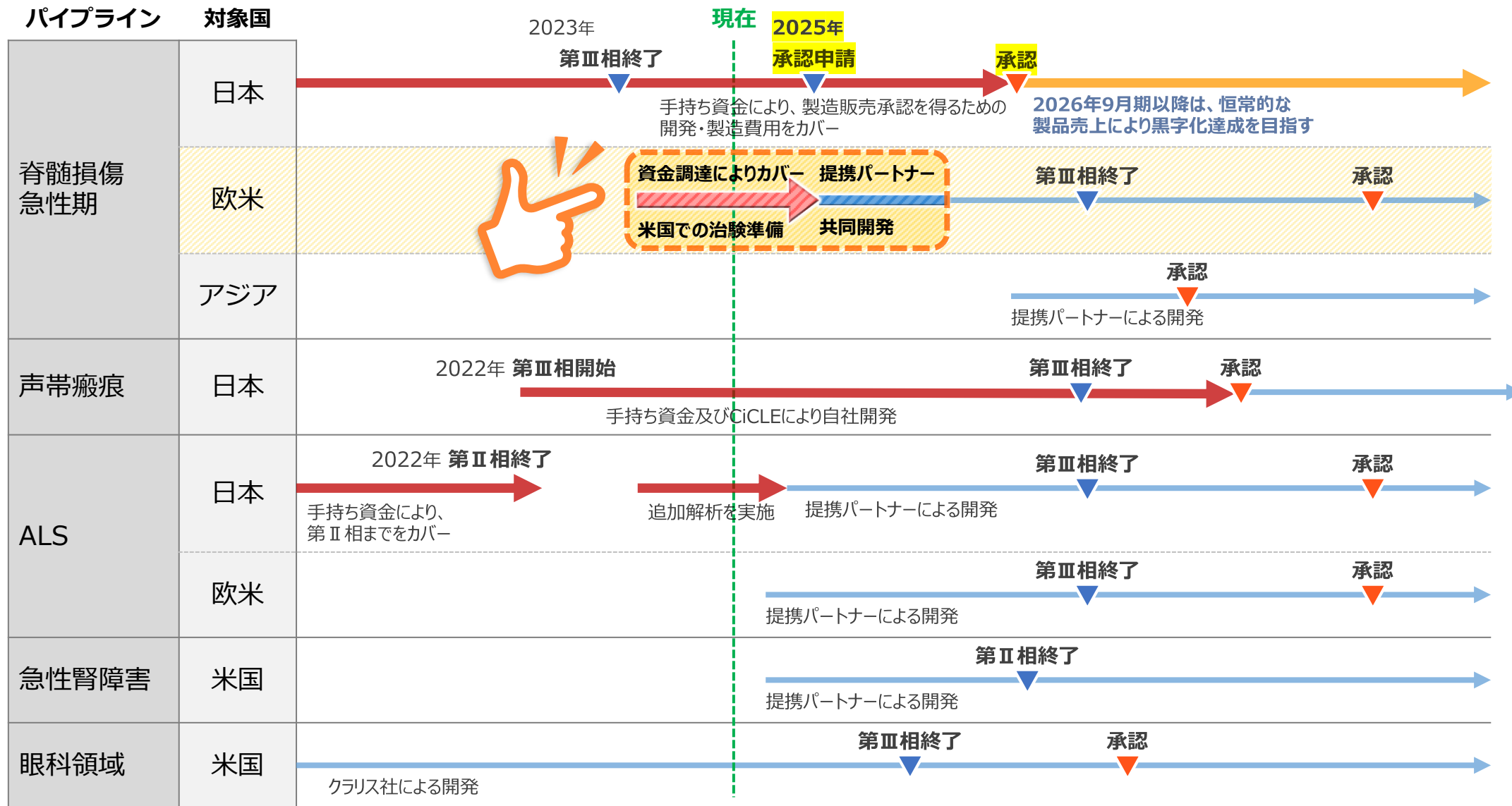
# 開発パイプラインの概要

- 複数の対象疾患でHGFタンパク質の治験を推進
- **レイトステージのパイプライン** (第Ⅲ相：2件、第Ⅱ相：1件)
- **脊髄損傷急性期、声帯癒痕及びALSを対象とする開発にリソースを投下**

優先順位	対象疾患	開発段階	臨床試験			申請承認	販売
			第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
1	脊髄損傷急性期	第Ⅰ/Ⅱ相試験(プラセボ対照二重盲検比較試験)終了、POC取得済み、希少疾病用医薬品指定取得済み、第Ⅲ相試験(単群非盲検試験)終了	終了		終了	PMDAと協議中	
2	声帯癒痕	第Ⅰ/Ⅱ相試験(オープンラベル用量漸増試験、医師主導治験)終了、第Ⅲ相試験(プラセボ対照二重盲検比較試験)実施中	終了		実施中	症例組入れ進行中	
3	ALS	第Ⅱ相試験(プラセボ対照二重盲検比較試験、医師主導治験)終了、主要・副次評価項目に統計的有意差なし、追加解析実施中	終了	終了		追加解析実施中	
4	急性腎障害	第Ⅰa, b相試験(オープンラベル用量漸増試験)終了、安全性、薬物動態確認済み パートナー探索中	終了	パートナー探索中			



# クリングルファーマの成長戦略\*



\* 全体としての予定であり、本グラフどおりに進行することを保証するものではありません。

## 脊髄損傷急性期

## 声帯癥痕

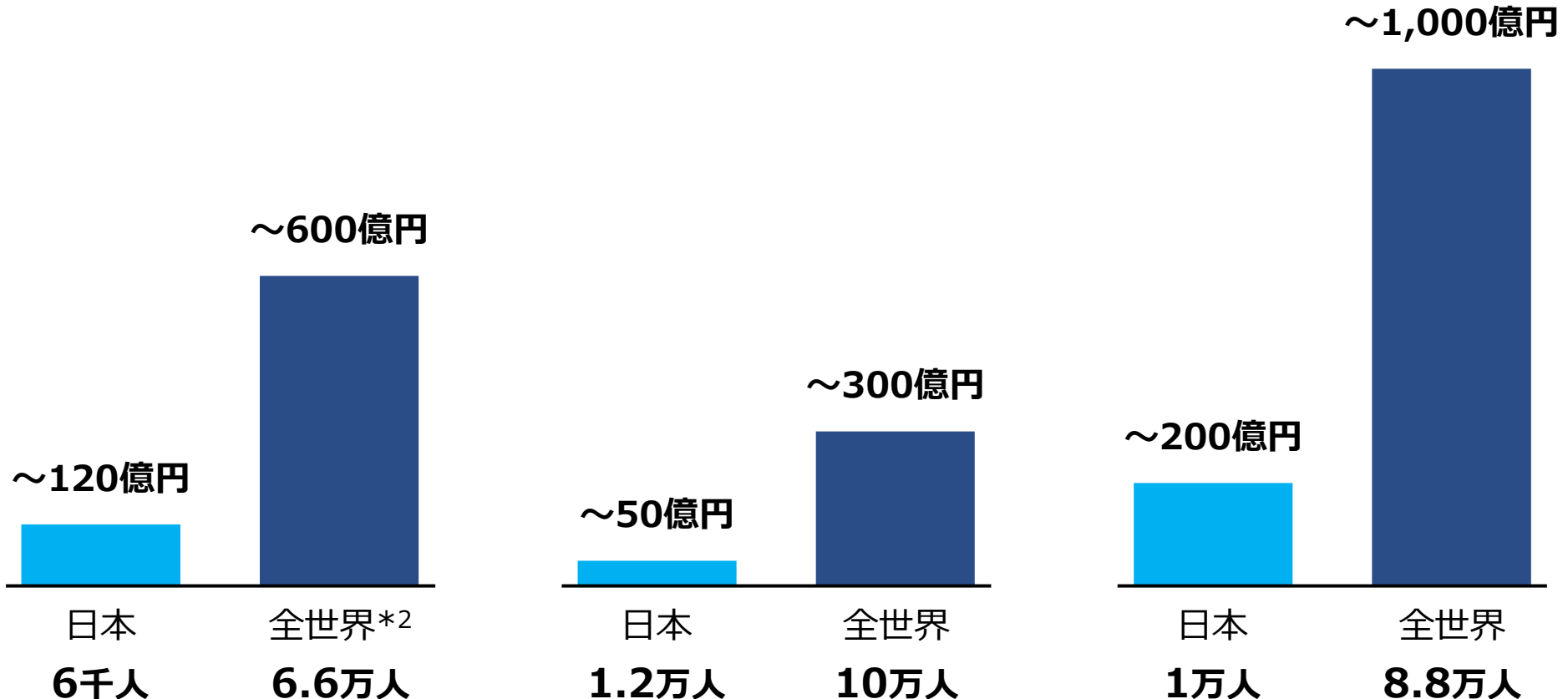
## ALS

\*1  
市場規模

\*1

市場規模

患者数\*3



\*1 当社予測：想定する患者数、診断率、治療率、薬剤使用率、薬価から算出

\*2 高度治療が可能な先進国

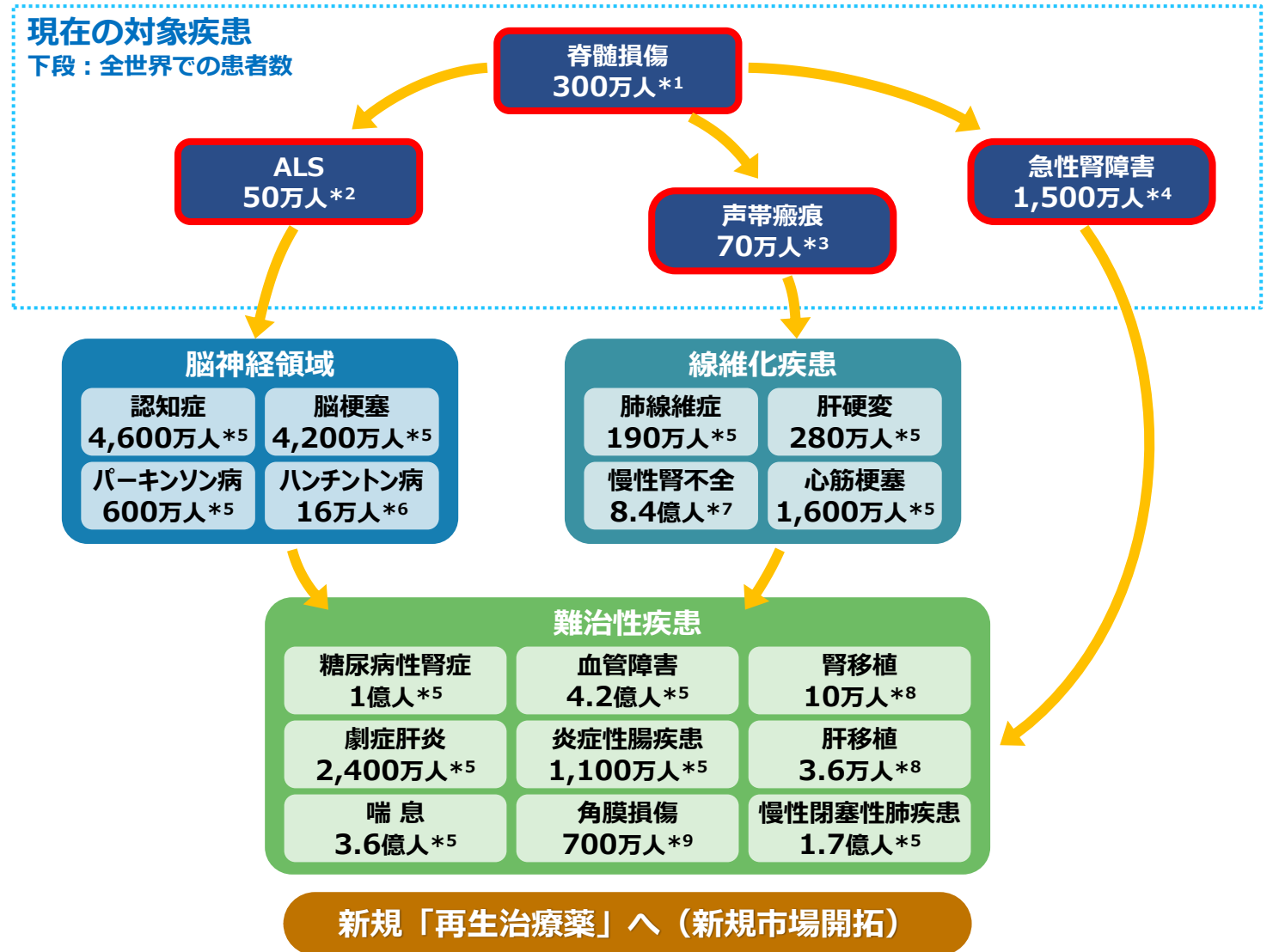
\*3 出典：脊髄損傷急性期－坂井宏旭ら「わが国における脊髄損傷の現状」(2010)、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2019) 及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計、声帯癥痕－角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究、平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計、ALS－平成30年度末現在 特定医療費（指定難病）受給者証所持者数、Arthur et al. Nat.Commun. (2016)



## 非臨床段階から 臨床初期段階の 新規パイプライン の創製



- 脊髄損傷急性期から慢性期への適応拡大
- 声帯癒痕から他の線維化疾患への適応拡大
- その他の難治性疾患への適応拡大



## <参考文献>

- \*1: The global map for traumatic spinal cord injury epidemiology, update 2011, global incidence rate. Spinal Cord (2014) 52, 110–116
- \*2: The epidemiology of amyotrophic lateral sclerosis, Handbook of Clinical Neurology. 2016;138:225-38.
- \*3: 「声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究. 平成21年度総括・分担研究報告書」における国内の有病率を基に当社算出
- \*4: KDIGO Clinical Practice Guideline for Acute Kidney Injury : Online Appendices A-F. Kidney Int Suppl 2 : 1—132, 2013.
- \*5: Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators. Global, regional, and national incidence, prevalence, and years lived with disability for 310 diseases and injuries, 1990–2015: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2015. Lancet 2016; 388: 545-602.  
(劇症肝炎は急性肝炎として記載)
- \*6: The incidence and prevalence of Huntington's disease: a systematic review and meta-analysis. 2012 Aug;27(9):1083-91.
- \*7: Epidemiology of chronic kidney disease: an update 2022. Kidney International Supplements (2022) 12, 7–11.
- \*8: 移植の国際状況. 『移植』 Vol. 56, No. 2
- \*9: Centers for Disease Control and Prevention. Estimated Burden of Keratitis –Unites States,2010  
(角膜損傷は、難治性の角膜損傷として角膜潰瘍の患者数を記載)

# 新規「再生治療薬」による新規市場開拓へ ～アカデミアとの共同研究～

## 終了

慶應義塾大学医学部生理学 岡野栄之教授、整形外科 中村雅也教授

- 脊髄損傷急性期、亜急性期、慢性期の各ステージにあわせた最適な次世代治療法の開発  
⇒ 2件の特許出願済み

## 新規

慶應義塾大学医学部整形外科学 名越慈人専任講師

- 脊髄損傷後の自然回復を予測する新たな急性期バイオマーカーの探索

金沢大学医薬保健研究域医学系呼吸器内科 矢野聖二教授、渡辺知志特任准教授

- HGFの特発性肺線維症への応用研究

岐阜大学医学部整形外科 秋山治彦教授、先端医療・臨床研究推進センター 浅田隆太准教授

- HGFの特発性大腿骨頭壊死症への応用研究

## 継続

東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科消化器病態学分野 岡本隆一教授

- 自家腸上皮幹細胞移植による再生医療の臨床研究（腸上皮オルガノイドを作製する際にHGFを使用）

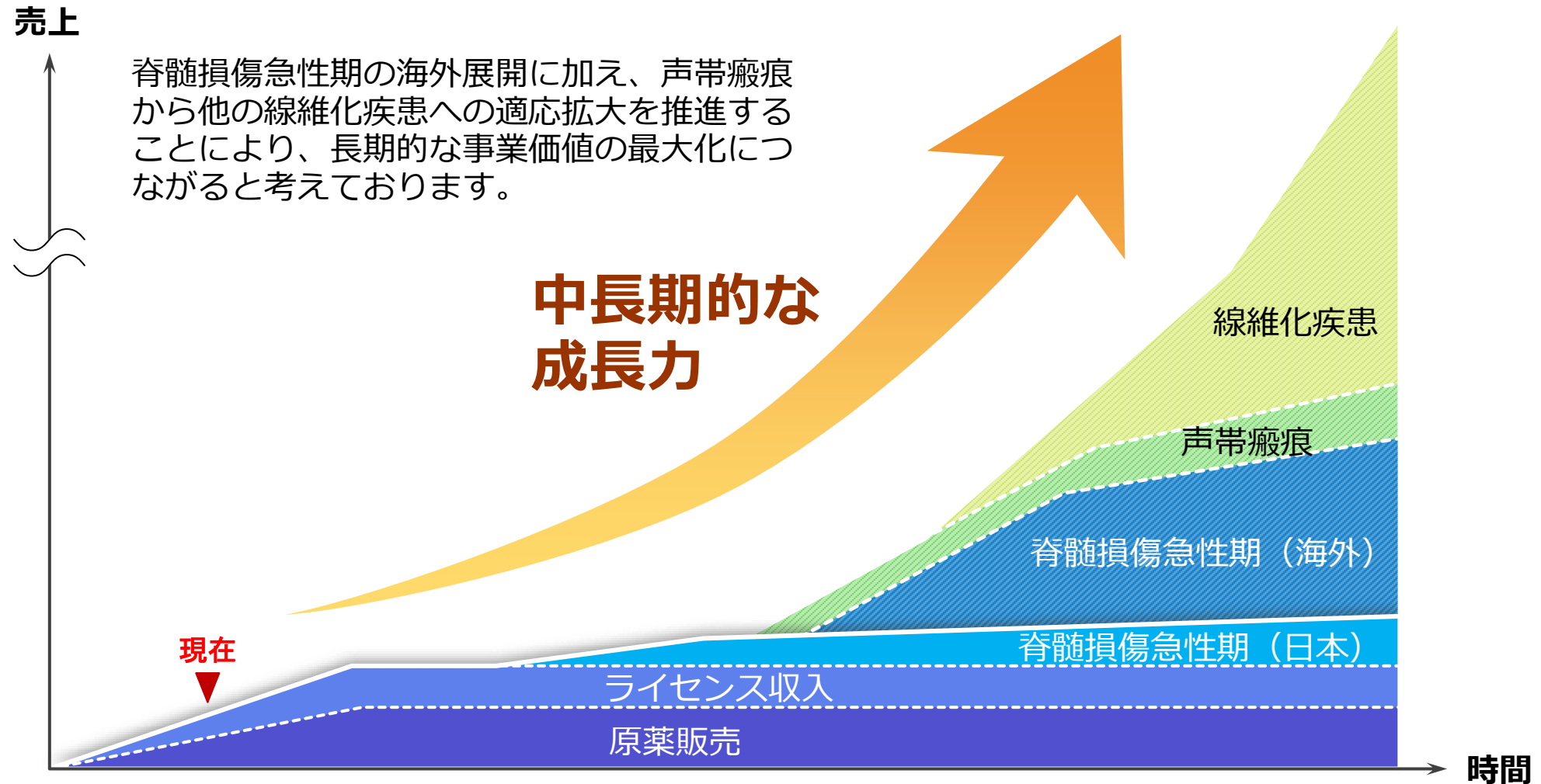
京都大学大学院医学研究科形成外科学 田畑泰彦特任教授

- 生物材料（バイオマテリアル）とHGFを組合せ、対象疾患に最適で効果的な次世代再生治療法の探索

金沢大学WPIナノ生命科学研究所 松本邦夫特任教授

- HGFの次世代製造方法に関する研究

## ハイブリッドビジネスモデル + 海外市場開拓 + 適応拡大



\* イメージ図であり、本グラフどおりに進行することを保証するものではありません。

---

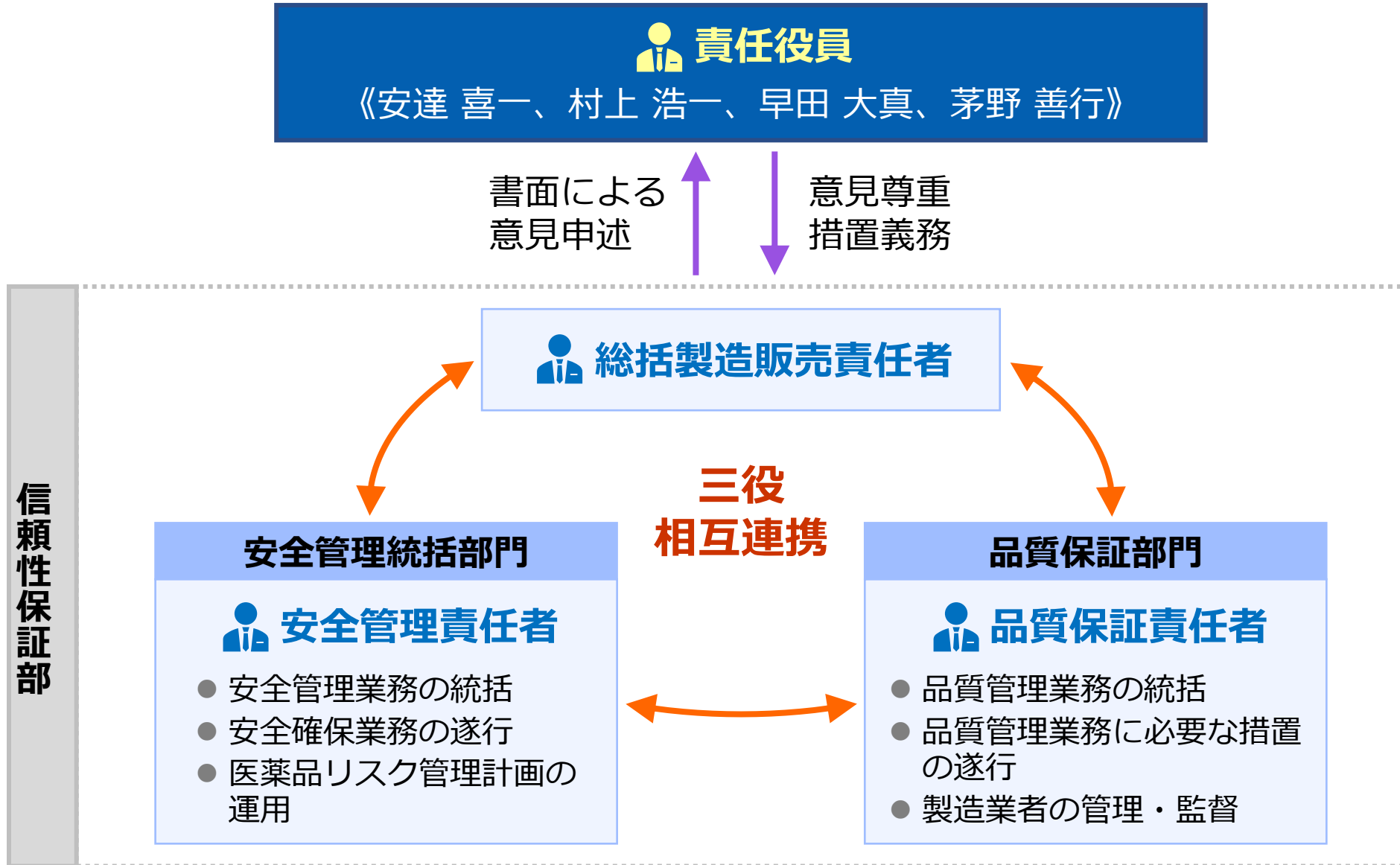
# 開発パイプラインの進捗状況

---

# 2025年9月期第1四半期の主なニュースリリース（後発事象を含む）

年月	トピックス
2024年10月	第一種医薬品製造販売業許可の申請に向け社内に三役体制を構築
2024年11月	脊髄損傷後の自然回復を予測する新たな急性期バイオマーカーの探索に関する慶應義塾大学との共同研究開始
2024年11月	大阪府に「第一種医薬品製造販売業」の業許可を申請
2025年1月	大阪府から「第一種医薬品製造販売業」の許可取得
2025年1月	声帯癒痕に対するHGFの第Ⅲ相臨床試験：治験実施施設を2施設追加





# 開発パイプライン

## － 脊髄損傷急性期 －

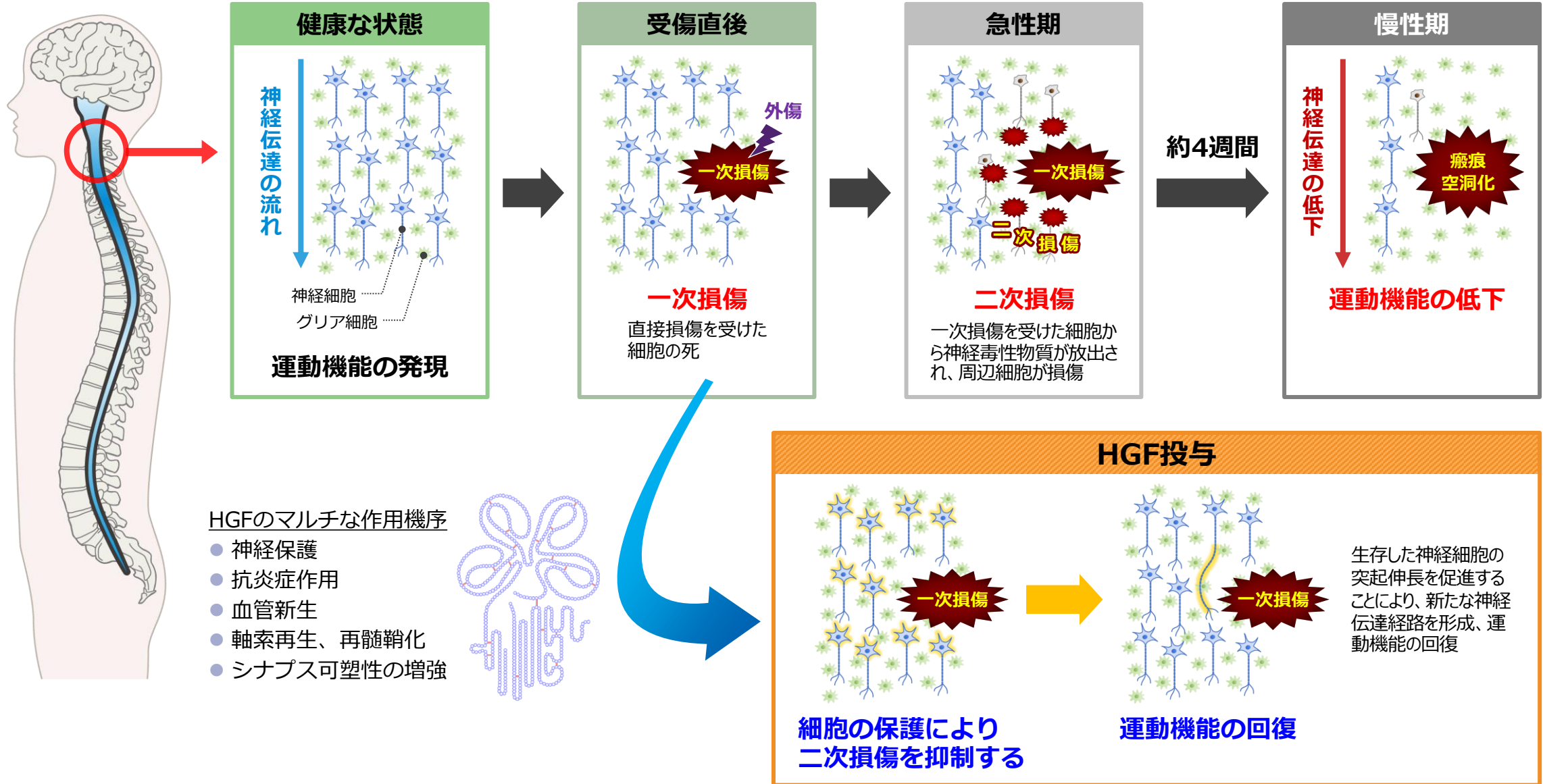
### 疾患の特徴

- 転倒・事故などで脊髄が損傷
  - － 新規罹患者\*：6,000人/年(日本)、6.6万人/年(全世界)
- 運動神経・感覚神経の傷害
- 損傷部位が脳に近いほど広範な麻痺
- **薬剤・手術などによる根本的治療法はない**
  - － 各種細胞治療は亜急性期
  - － 鎮痛剤、抗炎症剤等の対症療法のみ
- リハビリテーション：長期入院可能な施設は少ない
- 大きな医療経済効果(患者及び介護者)



\* 出典：Miyakoshi et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Traumatic Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2023)、及び総務省統計局「世界の統計2023, 世界人口の推移」を基に当社推計

# 脊髄損傷急性期にHGFに期待する治療効果



# 脊髄損傷急性期 第 I / II 相試験の結果



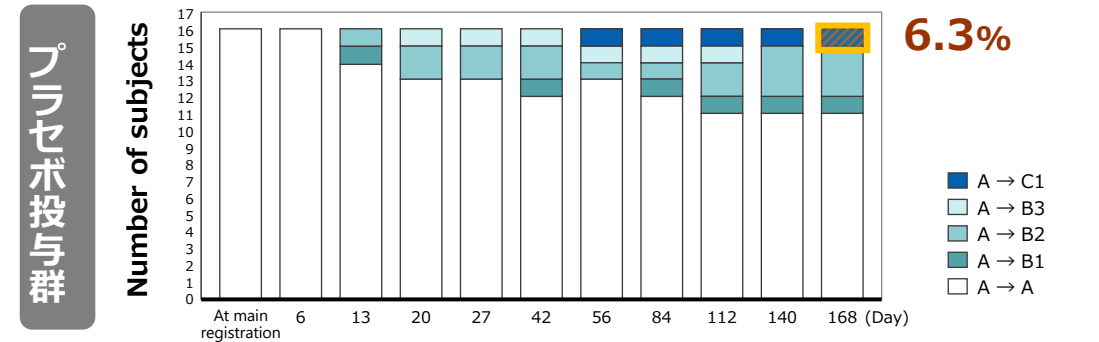
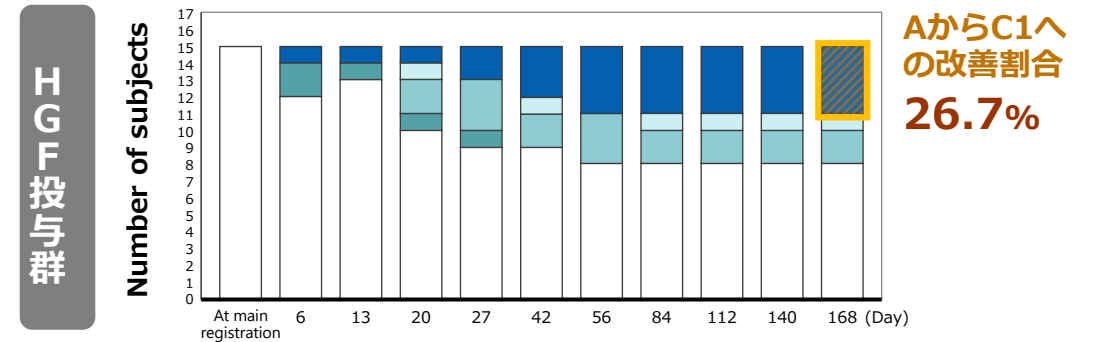
## プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

HGF投与群：28症例 / プラセボ投与群：17症例

**安全性について**      **大きな問題はなかった**

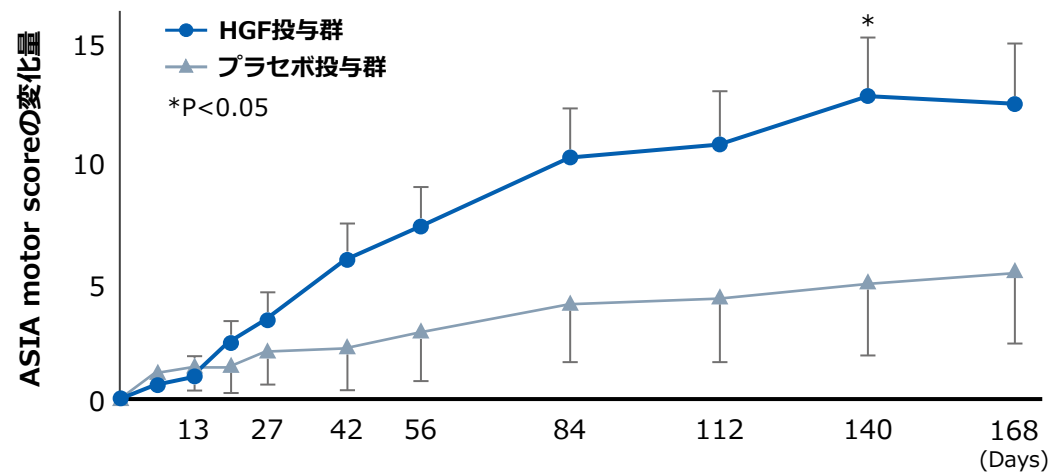
**有効性について**      **有効性の示唆を得た (POCが得られた)**

## 改良Frankel分類の経時的な推移 (部分集団解析 投与前Aの症例)



Nagoshi et al, J Neurotrauma. 2020.

## ASIA motor scoreの変化量



**2019年9月 本試験結果を踏まえて、希少疾病用医薬品指定\* (オーファン指定) を受けた  
(日本のオーファン指定品目の上市確度は極めて高い\*\*)**

\* 希少疾病用医薬品指定番号：(31薬)第442号

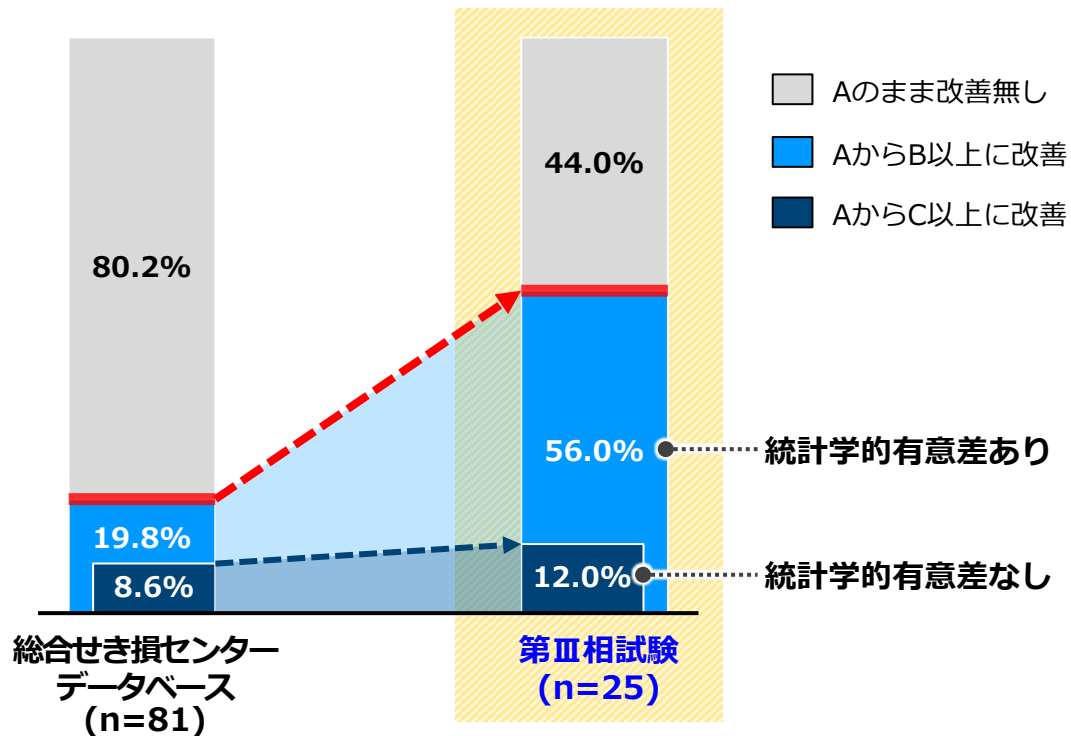
\*\* 出典：日本の希少疾病用医薬品の指定要件の現状に関する研究 医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No. 70 (2017)

# 脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

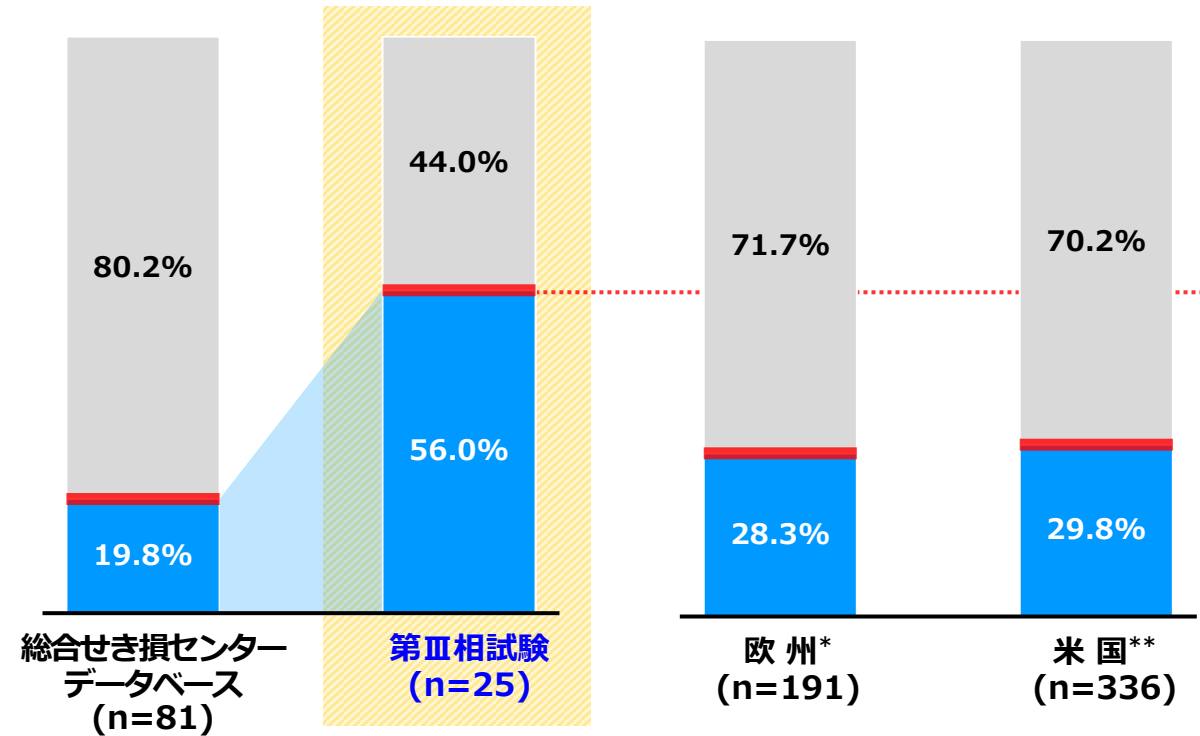


- 試験デザイン： 多施設共同非ランダム化試験 (HGF投与群のみ)
- 登録症例数： 26症例 (うち有効性の評価対象は25例)
- 対象患者： 頸髄損傷 (AIS分類：A)、年齢：18～89歳
- 用法： 脊髄腔内投与 (受傷後72時間より週1回×5回)、観察期間6ヵ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6ヵ月のAISがC以上に改善した症例割合

## 6ヵ月時点のAIS分類(重症度)の改善



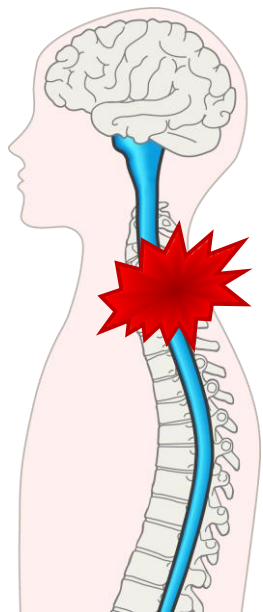
## 重症度B以上への改善割合 - 海外データベースとの比較 -



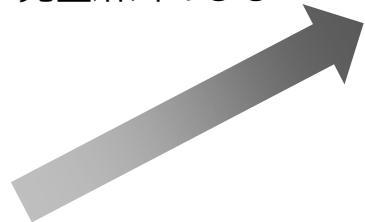
\* Spiess et al, J Neurotrauma. 2009. European Multicenter Study on Human Spinal Cord Injury (EM-SCI database) 2003-2007, baseline within 15 days, discharge after 6 months.

\*\* Marino et al, Arch Phys Med Rehabil. 2011. National Spinal Cord Injury Database (NSCISC database) 1994-2009, baseline within 7 days, discharge after 1 year.

## 急性期 完全麻痺

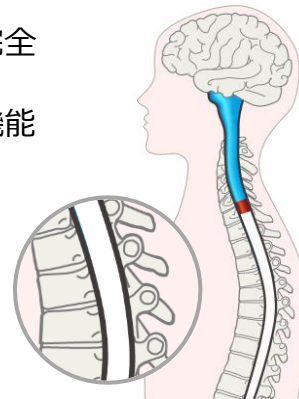


HGF投与がなければ  
約70%の患者は  
完全麻痺のまま



## 完全麻痺 AIS A

- 感覚・運動共に完全麻痺
- 脊髄が脱落し、機能回復が困難

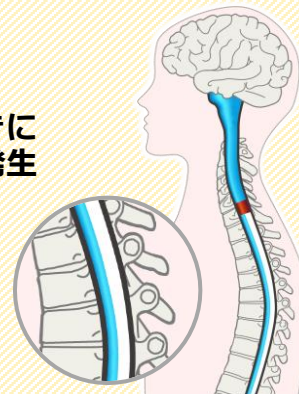


完全四肢麻痺の死亡リスクは、  
不全四肢麻痺の死亡リスクの  
**5倍以上** (退院後1年未満)

(Chamberlain et al. Spinal Cord. 2018. 56:920-930)

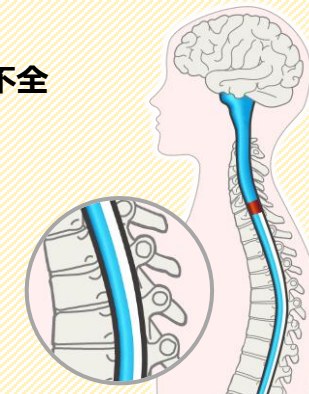
## 不全麻痺 (運動喪失) AIS B

- 脊髄が残存し、感覚が不全
- 病態変化の気づきにより、褥瘡等の発生率が低下する



## 不全麻痺 (運動不全) AIS C

- 脊髄が残存し、感覚・運動共に不全
- 歩行への期待



HGF投与により  
半数以上がB以上に  
改善



脊髄が残存すれば、リハビリテーションや細胞治療でより高い治療効果を期待できる

## ● 第Ⅲ相試験

事後解析  
総括報告書の作成

終了

終了 **New**

## ● PMDAとの協議

事前面談

申請前相談

終了

協議を継続中

製造販売承認申請

2025年4月以降 **New**

## ● 製造販売承認申請パッケージの作成

実施中

## ● 製造販売業許可取得

社内体制の整備  
製造販売業許可申請  
製造販売業許可取得

終了

終了

終了 **New**

# 開発パイプライン

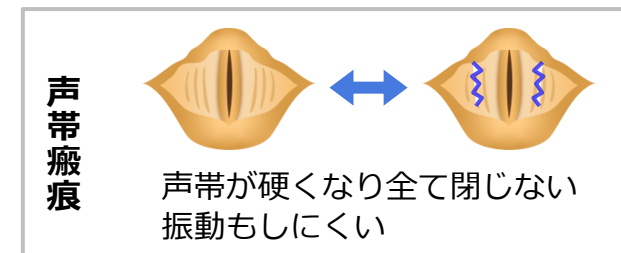
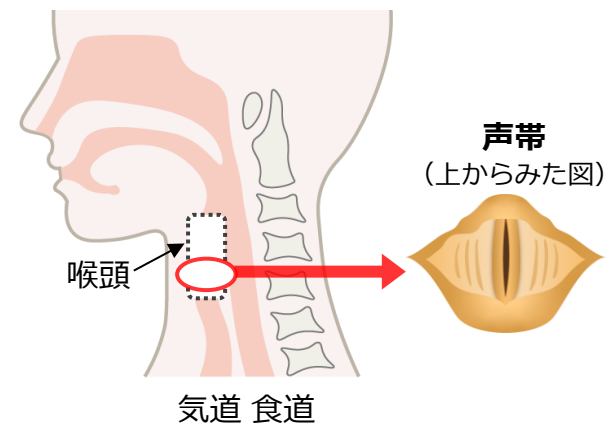
## － 声帯癒痕 －

### 声帯

- 1秒間に200～300回振動して発声
- 表面は粘膜、内側は筋肉や靭帯からなる層構造

### 疾患の特徴

- 先天性、後天性 (炎症・外傷に起因) の慢性難治性疾患
- 声帯粘膜の線維化により声帯が硬く変性し、発声が困難になる
- 患者数\* : 3,000～12,000人 (日本)、3～12万人 (先進国)
- 有効な治療法はない

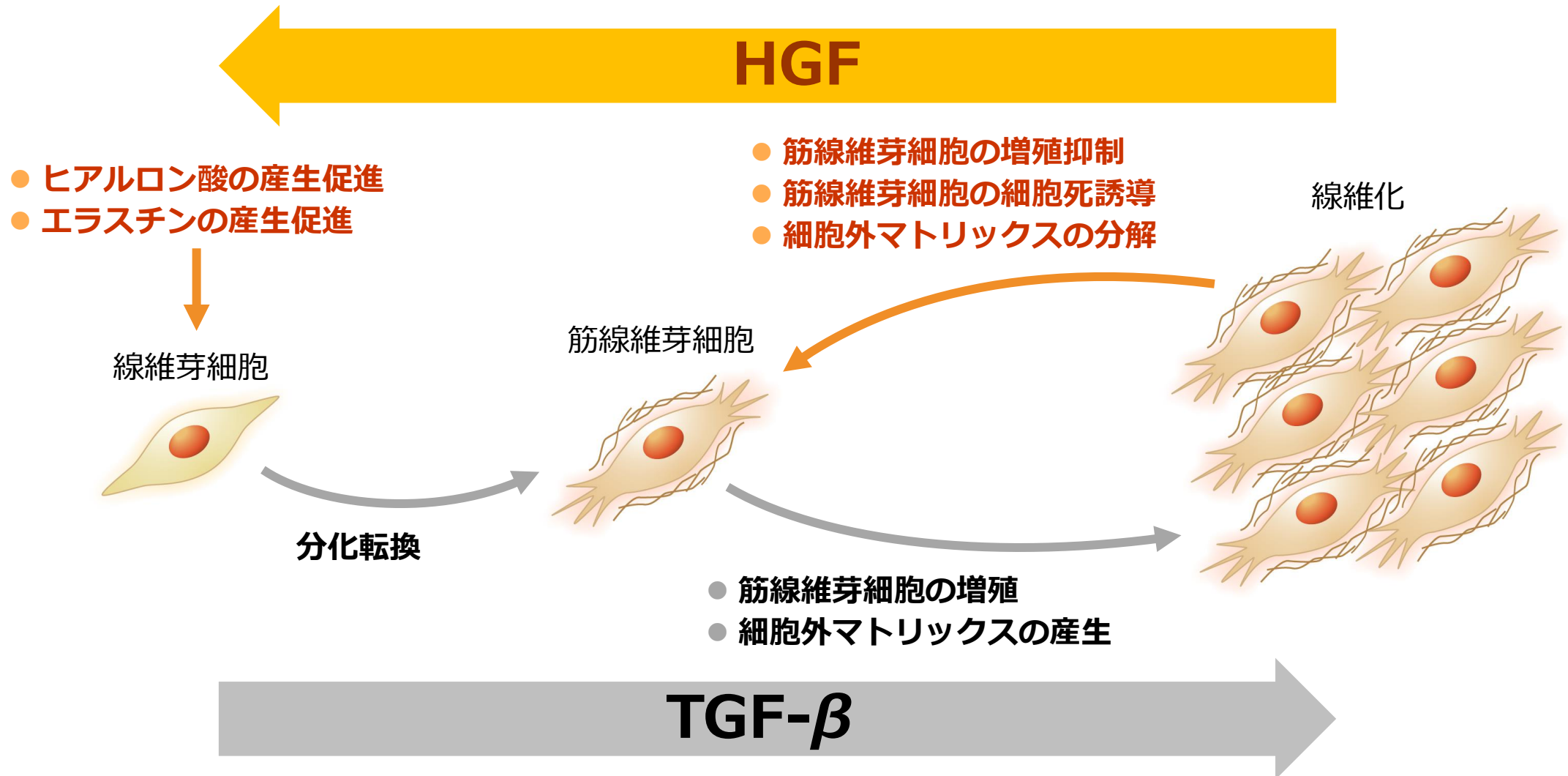


\* 出典：角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究。  
平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計



# 声帯癬痕に対するHGFの作用機序

京都大学平野滋先生（現京都府立医科大学耳鼻咽喉科教授）との共同研究により声帯癬痕モデル動物での薬効を確認



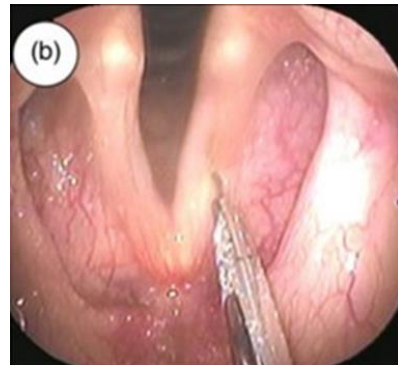
# 声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果

終了

## 第 I / II 相試験

安全性を確認し、有効性評価指標を探索する試験

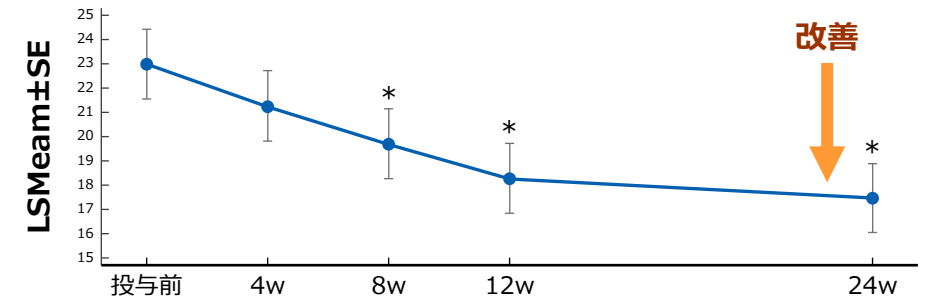
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1μg、3μg、10μg/片側声帯/回 1回/週、計4回、 <b>両側声帯粘膜内局所投与</b>
主要評価項目	安全性 ⇒ <b>良好であった</b>
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 ⇒ <b>有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた</b>



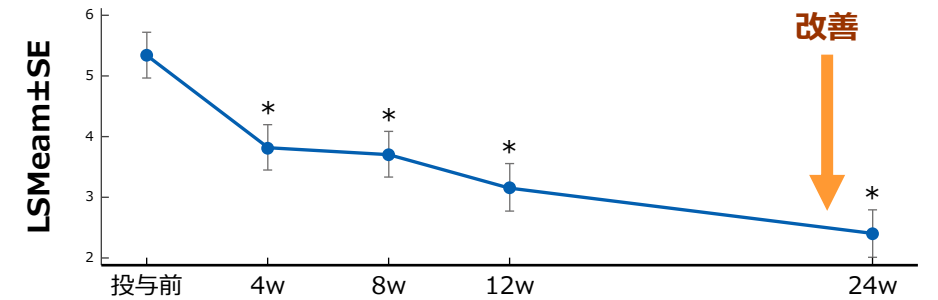
### 投与方法：

喉頭注射針 (a) を用いて  
声帯局所に注射する (b)

### VHI-10 (被験者による主観的評価)

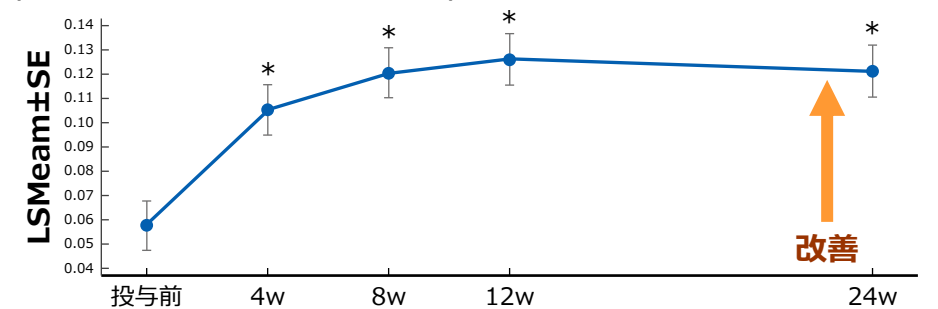


### GRBAS (第三者による聴覚的評価)



### Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

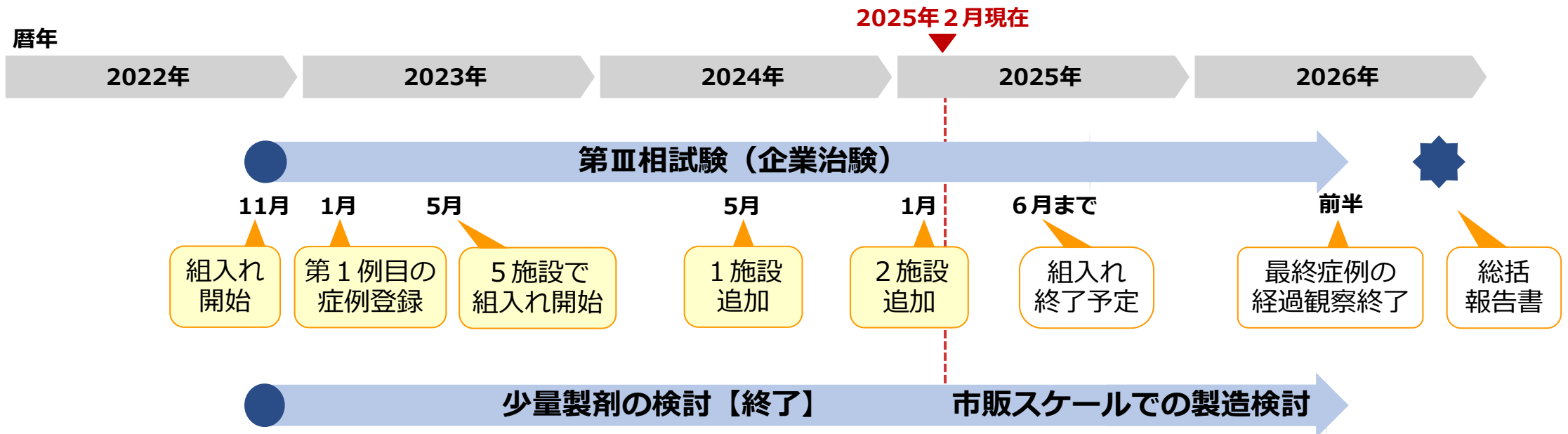


Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

# 声帯癬痕 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

組入れ  
継続中

- 試験デザイン： 多施設共同ランダム化試験
- 目標症例数： 62症例（HGF及びプラセボ投与群、各群31症例）
- 対象患者： 声帯癬痕（声帯溝症を含む）患者、年齢：18～75歳
- 用法： 【二重盲検期】声帯粘膜内投与（週1回×4回）、観察期間：24週間  
【継続期】希望する患者にはHGFを投与（週1回×4回）、継続観察期間：24週間
- 主要評価項目： 二重盲検期の観察期間24週目におけるVHI-10\*スコア改善率
- 実施施設： 8施設（京都府立医科大学附属病院、久留米大学医学部附属病院、東北大学病院、川崎医科大学附属病院、山王メディカルセンター、藤田医科大学病院、福岡山王病院、他1施設）



\* Voice Handicap Index-10：10項目の質問から、自分の声をハンディキャップと感じている程度を患者本人がスコア化する。各質問は、0（障害なし）から4（最大障害）までの回答が設定されており、症状が悪化するほど高値となる。

# 開発パイプライン – ALS –

## 疾患の特徴

- 運動神経の細胞死に起因する原因不明の疾患
- 患者数\*： 1万人 (日本)、8.8万人 (先進国)
- 3～5年以内に80%以上の患者が死亡\*\*
- 遺伝的な家族性ALSは10%程度\*\*
- 発症は30～80歳代 (ピークは65～69歳)\*\*
- 既存薬 (リルゾール、エダラボン) の効果は限定的
- 大きな医療経済効果 (患者及び介護者)



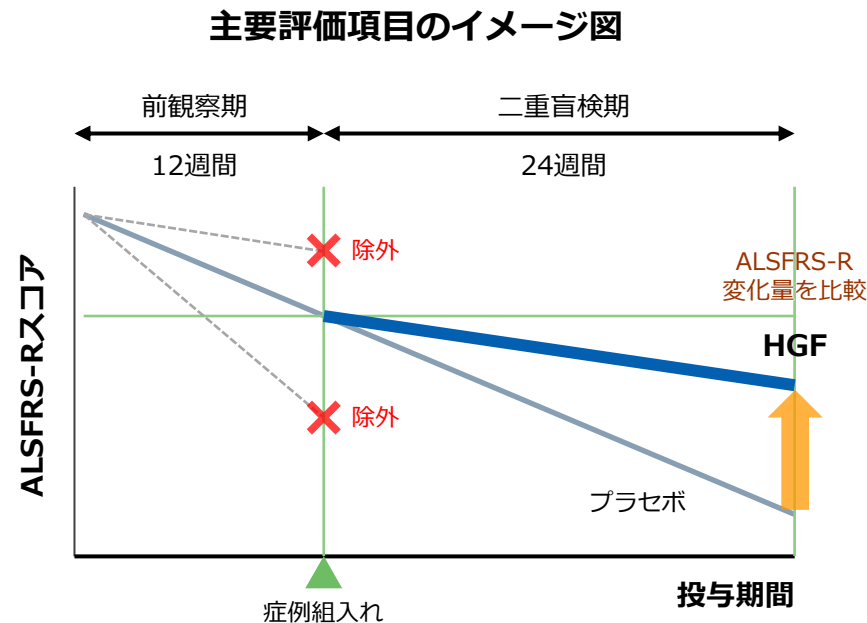
\* 出典：令和3年度末現在 特定医療費 (指定難病) 受給者証所持者数、Arthur et al. Nat. Commun. (2016)

\*\* 出典：公益財団法人 難病医学研究財団/難病情報センター HP、一般社団法人 日本ALS協会 HP、サノフィ社 LIVE TODAY FOR TOMORROW HP

# ALS 第Ⅱ相試験（医師主導治験）

追加解析  
実施中

- 試験デザイン： プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験
- 組入れ症例数： 46症例（HGF投与群：32症例、プラセボ群：14症例）
- 対象患者： 20歳以上、70歳以下のALS患者（重症度分類が1または2）
- 用法： 脊髄腔内にカテーテルを挿入し、皮下ポートを通じて治験薬を脊髄腔内に投与する  
1回投与/2週、24週間（二重盲検期）+24週間（継続投与期）
- 主要評価項目： 二重盲検期24週のALSFRS-R\*スコア変化量の群間差
- 実施施設： 東北大学病院、大阪大学医学部附属病院



## データ解析（速報） 2022年8月12日付け当社リリース

- 主要評価項目に関して統計的有意差はなかった
- 事前に定めた副次評価項目\*2に関して統計的有意差はなかった
- KP-100IT投与群において進行抑制が認められた症例もあり、本試験結果の解釈にはさらに詳細な解析が必要

\*2 UMIN-CTR 臨床試験登録情報  
[https://center6.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr\\_view.cgi?recptno=R000025102](https://center6.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000025102)

## 東北大学と追加解析に関する共同研究実施中（2024年4月～）

- 神経変性や神経炎症のバイオマーカーを測定し、HGF投与による効果を検証する（2025年3月終了予定）

\* ALS患者の日常生活活動を見るもので、12項目の動作について各々0～4の5段階で点数化する。

---

# 2025年9月期第1四半期決算概況

---

# 2025年9月期第1四半期 経営成績の概況

## 損益計算書の概要 前年対比

(単位：百万円)

	2024年9月期 第1四半期	2025年9月期 第1四半期	2025年9月期第1四半期 内容	2025年9月期 通期業績予想
売上	18	18	● クラリス社からの技術アクセス フィー	272*
売上原価	—	—		63
販売管理費	187	230		1,587
研究開発費	128	161	● 脊髄損傷の承認申請準備費用、 米国開発に関する準備費用 ● 声帯癒痕の治験費用	1,223
営業損失	△168	△212		△1,379
営業外収益	0	—		—
営業外費用	1	0		—
経常損失	△169	△212		△1,379
法人税等	0	0		1
四半期純損失	△169	△212		△1,380

\* 新規提携に伴う契約一時金が発生する可能性があります、現時点では不確実であるため売上予想には含めておりません。

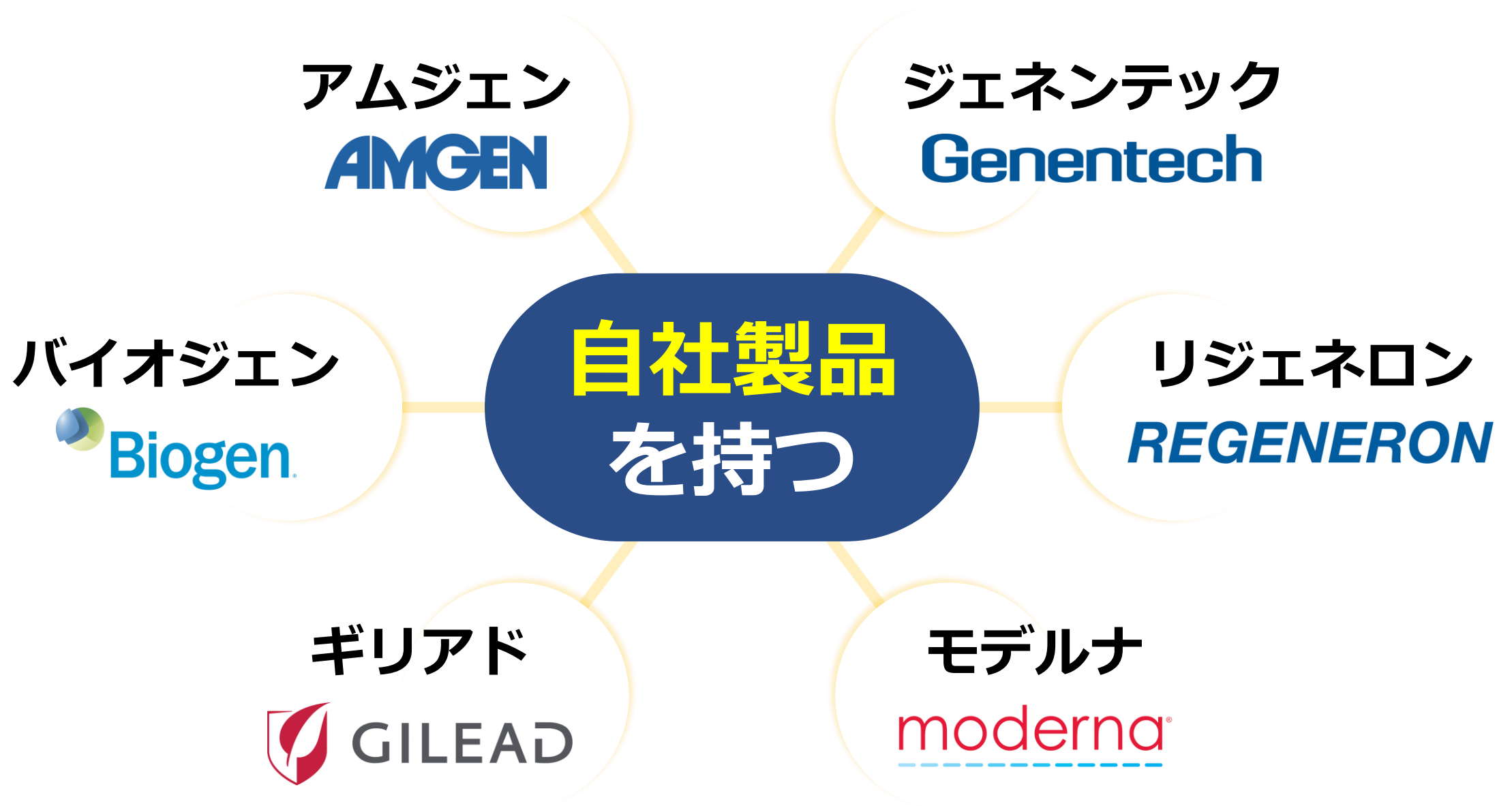
# 2025年9月期第1四半期 財政状態の概況

## 貸借対照表の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2024年9月期 期末	2025年9月期 第1四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	2,755	2,543	△212	● 現預金の減少
現預金	2,313	2,101	△211	● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	1	—	
資産合計	2,757	2,544	△212	
流動負債	128	123	△4	
固定負債	520	522	1	
負債合計	648	645	△3	
純資産合計	2,108	1,899	△208	● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,757	2,544	△212	
自己資本比率	75.8%	73.8%		

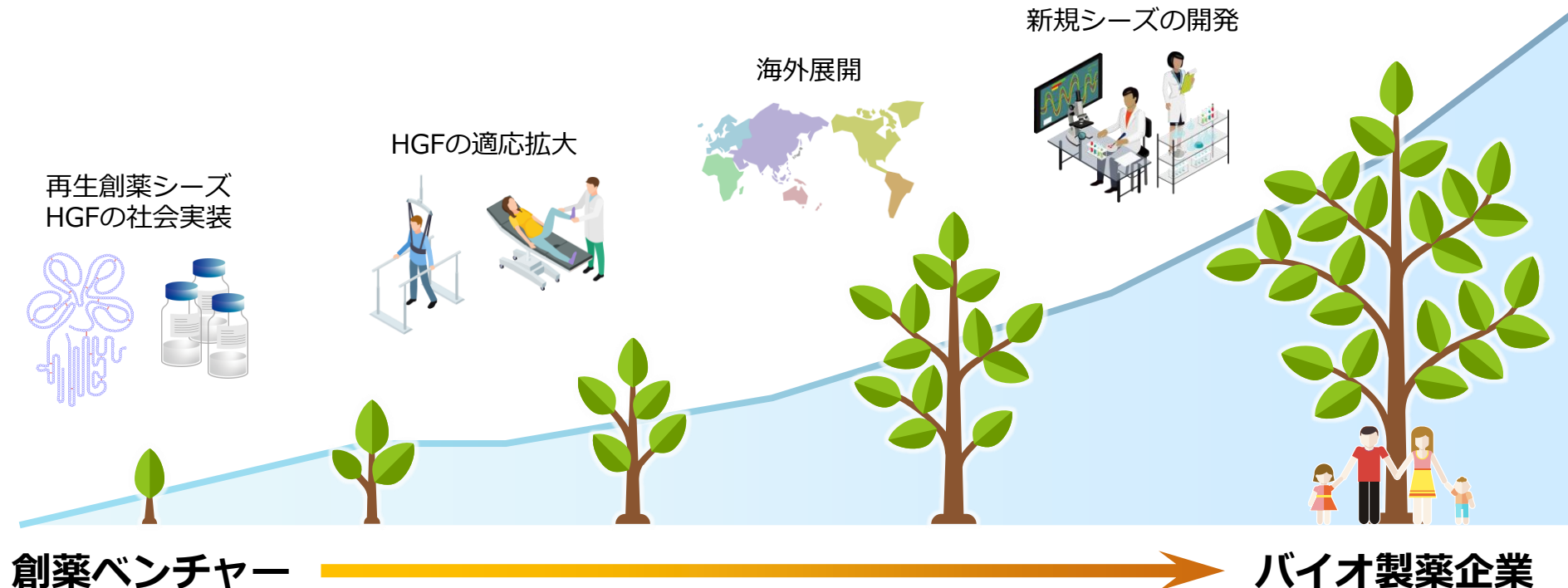




## 患者さんに新薬を、人々に笑顔を

### 企業理念

難治性疾患治療薬の研究開発を行い、難病に苦しむ患者さんに対して画期的な治療手段を提供し、社会に貢献すること



**ご清聴ありがとうございました。**

**ご質問等がございましたら当社HPよりお問合せください。**

**<https://www.kringle-pharma.com/contact/>**

---

# Appendix

---



## 代表取締役社長 安達 喜一

Paradigm Genetics, Inc.、(株)三井物産戦略研究所バイオテクノロジーセンター、2004年4月より当社研究開発部長、取締役副社長、取締役事業開発部長を歴任、2016年12月より当社代表取締役社長(現任)

## 取締役経営管理部長 村上 浩一

(株)リクルート、(株)フレックス、(株)アドバンスクリエイティブ、(株)エトヴォス、NHSインシュアランスグループ(株)、2021年12月より当社取締役経営管理部長(現任)

## 取締役医薬開発部長 早田 大真

2004年5月当社入社、研究開発部研究員、医薬開発部マネージャー、シニアマネージャーを歴任、2021年6月より医薬開発部長、2022年12月より取締役医薬開発部長、2023年8月より取締役医薬開発部長兼薬事部長(現任)

## 取締役信頼性保証部長 茅野 善行

和研薬(株)、2005年10月から2010年12月まで当社研究開発部研究員、岡山大鵬薬品(株)、2019年4月より当社再入社、医薬開発部マネージャー、シニアマネージャーを歴任、2023年1月より信頼性保証部長、2023年12月より取締役信頼性保証部長(現任)

## 取締役 友保 昌拓

雪印乳業(株)、中外製薬(株)、三菱UFJキャピタル(株)、アニコムキャピタル(株)、(株)友保総合研究所代表取締役社長(現任)、(株)キノファーマ取締役(現任)、(株)GenAhead Bio 社外取締役(現任)、ファーマバイオ(株)社外取締役(現任)、(株)バイオマトリックス研究所社外取締役(現任)、2016年12月より当社取締役(現任)

## 社外取締役 吉野 公一郎

鐘紡(株)、日本オルガノン(株)、カルナバイオサイエンス(株)代表取締役社長(現任)、(株)メディネット社外取締役(現任)、2018年12月より当社社外取締役(現任)

## 社外取締役 福井 真人

ゼノアックリソース(株)(現ゼノジェンファーマ(株))、日本全薬工業(株)取締役(現任)、ゼノジェンファーマ(株)代表取締役社長(現任)、2020年12月より当社社外取締役(現任)

## 監査役 土井 直巳

科研製薬(株)にて研開業務管理センター長、信頼性保証部長、常勤監査役を歴任、経営顧問(現任)、セルアクシア(株)社外監査役(現任)、2024年12月より当社社外監査役(現任)

## 監査役 本川 雅啓

ベリングポイント(株)、あずさ監査法人、D&A総合会計事務所所長(現任)、新月有限責任監査法人代表社員(現任)、ドクターズモバイル(株)社外監査役(現任)、リバスキュラーバイオ(株)社外監査役(現任)、2018年12月より当社社外監査役(現任)

## 監査役 山口 要介

北浜法律事務所、(株)大阪証券取引所に出向、岩谷・村本・山口法律事務所共同パートナー(現任)、akippa(株)社外監査役(現任)、(株)フィットクルー社外監査役(現任)、(株)センターモバイル社外監査役(現任)、2018年12月より当社社外監査役(現任)

# 脊髄損傷の主な競合品（第Ⅱ相以上）

2025年1月時点

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ	対象疾患、投与方法
ニプロ	条件期限付き承認	日本	『ステミラック注』	自己骨髄間葉系幹細胞	対象疾患：脊髄損傷亜急性期 投与方法：点滴静注
当社	第Ⅲ相 終了	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：脊髄腔内投与 ※日本でオーファン指定
Eusol Biotech	第Ⅲ相	台湾	ES135 (rhFGF1)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：脊髄損傷急性期～慢性期 投与方法：フィブリン糊と共に損傷部位に投与
Neuroplast	第Ⅱ/Ⅲ相	デンマーク スペイン	Neuro-Cells	自己骨髄間葉系幹細胞	対象疾患：脊髄損傷亜急性期 投与方法：脊髄腔内投与 ※欧州でオーファン指定
AbbVie	第Ⅱ相 (組入れ終了)	Global	ABT-555 (Elezanumab)	抗RGMa抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：静脈内投与 ※USでオーファン及びファストトラック指定
田辺三菱	第Ⅱ相 (組入れ終了)	Global	MT-3921	抗RGMa抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：静脈内投与 ※USでファストトラック指定
University of Zurich	第Ⅱb相 終了	欧州	NG-101	Nogo A抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：脊髄腔内投与 ※プラセボとの有意差示せず
StemCyte	第Ⅱ相	US, 台湾	MC001	ヒト臍帯血由来単核細胞	対象疾患：脊髄完全損傷慢性期 投与方法：損傷脊髄への移植 ※中国P2で効果と安全性確認済み

# 声帯癒痕の主な競合品（第Ⅰ相以上）

2025年1月時点

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ	対象疾患、投与方法
当社	第Ⅲ相	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：声帯癒痕（声帯溝症を含む） 投与方法：声帯内局所投与
マルセイユ国立大学 病院	第Ⅱ相	フランス	Autologous adipose- derived stromal vascular fraction	自己脂肪由来間質 血管細胞群	対象疾患：声帯癒痕 投与方法：局所投与
カロリンスカ医科大学	第Ⅰ/Ⅱ相	スウェーデン	MSC-KI-PL-204	自己骨髄間葉系 幹細胞	対象疾患：声帯癒痕 投与方法：局所投与
Mayo Clinic	第Ⅰ相	US	Autologous adipose- derived stromal vascular fraction	自己脂肪由来間質 血管細胞群	対象疾患：声帯癒痕 投与方法：局所投与

- 第Ⅲ相のステージにあるのは当社のみ
- 企業主導による治験は当社のみ
- 細胞治療ではないモダリティは当社のみ

\* 出所：米国の臨床試験登録データベースClinicalTrials.govより当社作成

# ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

2025年1月時点



Kringle  
Pharma

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ	対象疾患、投与方法
サノフィ (後発品多数)	承認	Global	リルゾール	グルタミン酸拮抗剤 低分子化合物	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
田辺三菱	承認	日、米等7か国 (欧州取下げ)	エダラボン	フリーラジカル消去剤	対象疾患：脳梗塞急性期、ALS 投与方法：点滴静注 ※エダラボンの経口混濁剤US/カナダ/JP/スイス承認、USオーファン指定
イーザイ/徳島大学	承認	日本	高用量メチルコバラミン	活性型ビタミンB12	対象疾患：ALS、投与方法：筋肉注射 ※国内オーファン指定、承認申請(2024年1月)、承認(2024年9月)
Biogen	(迅速)承認 承認 承認	US 欧州 日本	Qalsody (tofersen)	SOD1遺伝子のアンチセンス遺伝子治療	対象疾患：SOD1変異による家族性ALS 投与方法：脊髄腔内投与 ※USは迅速承認。正式承認は実施中のPhase3結果次第。欧州承認(2024年6月)、日本承認(2025年1月)
Amylyx Pharmaceuticals	承認後 自主撤退	US カナダ EU	AMX0035 (sodium phenylbutyrate + taurursodiol)	肝・胆・消化機能改善剤, 尿素サイクル異常症治療薬	対象疾患：ALS 投与方法：経口投与 ※P3トップライン公表、主要・副次評価項目未達、市場からの自主撤退を発表(2024年4月)。
AB Science	申請 第Ⅲ相	欧州, カナダ US	AB19001 (masitinib)	経口キナーゼ阻害剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与 ※US/欧州でオーファン指定、条件付き承認について欧州医薬品庁(EMA)より否定的見解(2024年10月)
Brainstorm-Cell Therapeutics	第Ⅲb相	US	NurOwn (MSC-NTF cells)	自家骨髄間葉系幹細胞	対象疾患：ALS、投与方法：脊髄腔内投与 ※FDAとSPA合意、P3b開始へ
Ferrer	第Ⅲ相 終了	欧州	エダラボン (FNP122/FAB122)	フリーラジカル消去剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与 ※P3トップライン公表、主要・副次評価項目未達(2024年1月)
MediciNova	第Ⅱb/Ⅲ相	US, カナダ	MN-166 (ibudilast)	Leukotriene D4 (LTD4) 阻害剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与 ※USでオーファン及びファストトラック指定
当社/東北大学	第Ⅱ相 終了	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：ALS、投与方法：脊髄腔内投与 ※追加解析（バイオマーカー測定）実施中