

2025年9月期第3四半期決算について

2025年8月8日

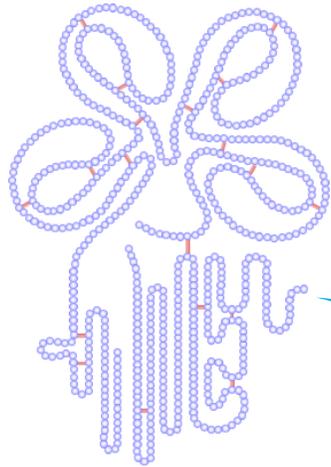
クリングルファーマ株式会社
(東証グロース：4884)

- 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。

- **2025年9月期第3四半期のトピックス**
- **開発パイプラインの進捗状況**
 - 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3四半期決算概況**
 - 業績予想の修正
 - 経営成績・財政状態の概況
- **成長戦略**

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



- 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、19個の分子内架橋
- 複雑な構造 (クリングル構造と言う：社名の由来)
- マルチな生物学的機能
- 組織・臓器の「保護」、「再生」、「修復」を担う

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
オフィス	大阪市北区中之島4-3-51 Nakanoshima Qross 未来医療R&D センター10階
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	12百万円 (2025年6月末時点)
役員数	取締役7名、監査役3名
従業員数	16名 (2025年6月末時点)

レイトステージの 開発パイプライン の進捗

HGFの適応拡大 (新規パイプライン 創製に向けて)

● 脊髄損傷急性期

- 国内：追加試験を実施し承認申請を行う方針決定 (2025年7月)
- 米国：希少疾病用医薬品指定を取得 (2025年6月)

New

New

● 声帯癒痕

- 第Ⅲ相臨床試験の組入れを2025年12月まで継続 (2025年5月)

● ALS

- 第Ⅱ相臨床試験の追加解析を2025年9月まで継続 (2025年4月)

- ペロニー病*への応用研究に関する神戸大学との共同研究開始 (2025年6月)

New

* 陰茎硬化症。線維化疾患の一種。

開発パイプラインの進捗状況

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、声帯癬痕及び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 追加治験計画中	終了	終了	追加治験計画中	PMDAと協議中	New
2	声帯癬痕	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			

開発パイプライン

－ 脊髄損傷急性期 －

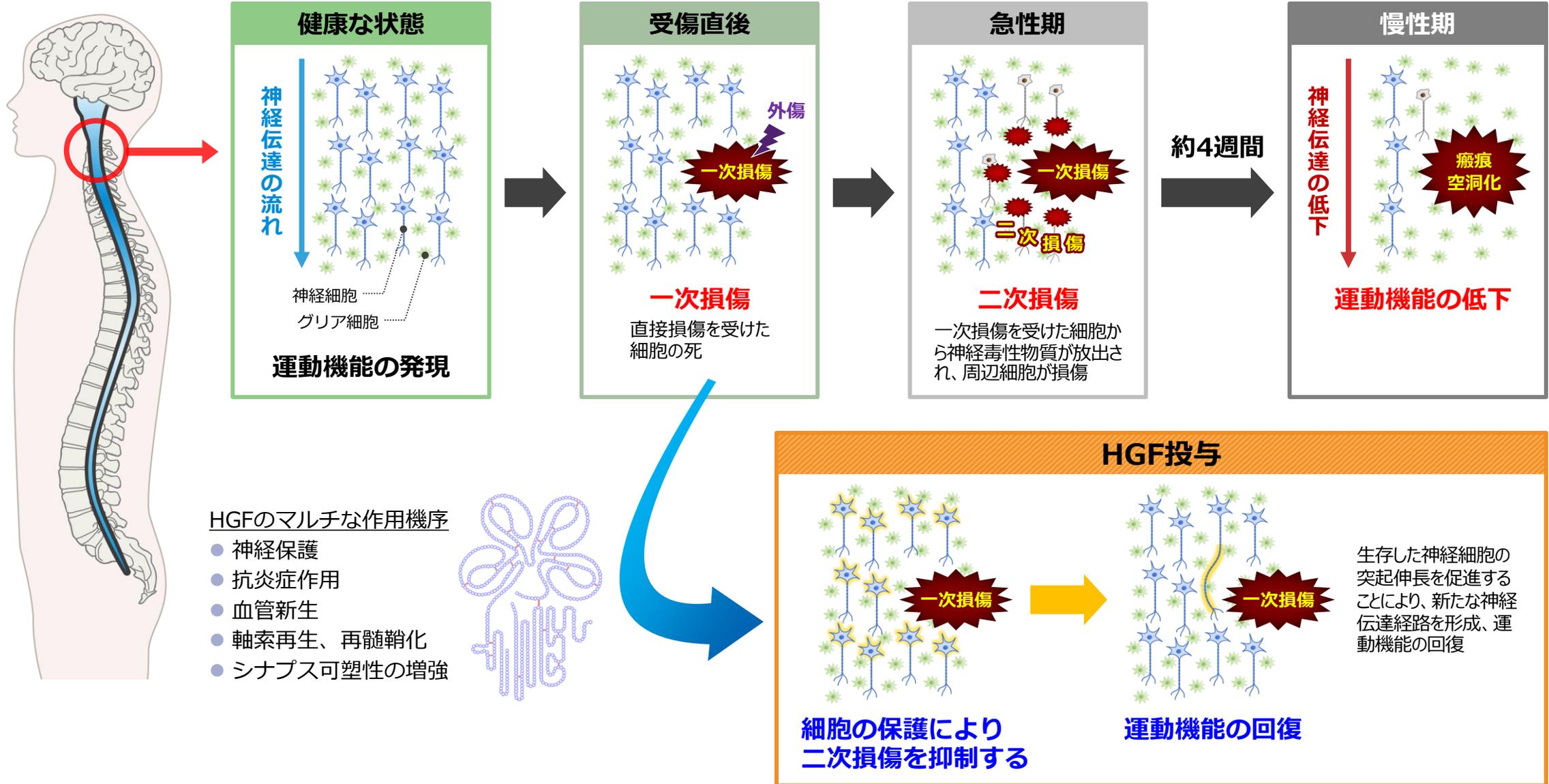
疾患の特徴

- 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)



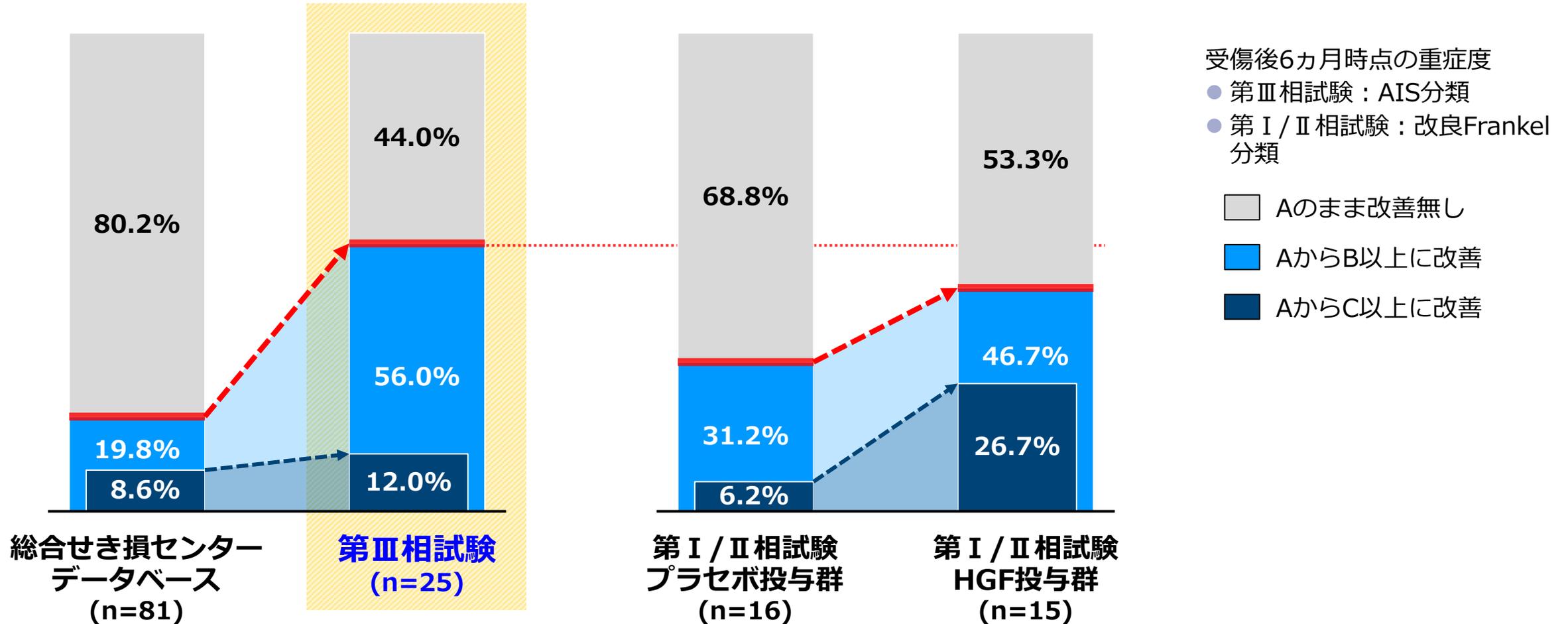
* 出典：Miyakoshi et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Traumatic Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2023)、及び総務省統計局「世界の統計2023, 世界人口の推移」を基に当社推計

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Ⅲ相試験 – 重症度の改善、第Ⅰ / Ⅱ相との比較 –

- 重症度の改善傾向は再現された。
ただし、B以上への改善率：第Ⅲ相 > 第Ⅰ / Ⅱ相、C以上への改善率：第Ⅰ / Ⅱ相 > 第Ⅲ相



脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 –レスポンスの割合、第Ⅰ/Ⅱ相との比較–

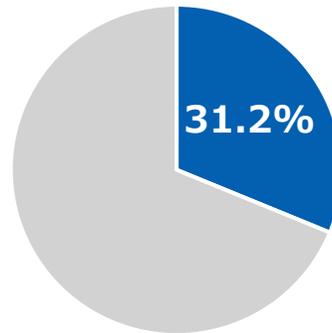
ASIA motor score

第Ⅰ/Ⅱ相
プラセボ群

第Ⅰ/Ⅱ相
HGF投与群

第Ⅲ相

5点以上改善
した症例割合
(臨床的に意味の
ある改善*)

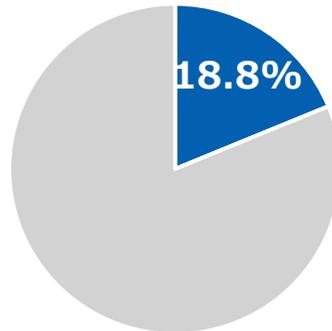


31.2%

33.3%

60.0%

10点以上改善
した症例割合



18.8%

33.3%

20.0%

* Scivoletto et al, Eur J Phys Rehabil Med. 2013.

- **第Ⅰ / Ⅱ相試験：**

高齢者の転倒・転落などによる中心性頸髄損傷の症例が多かった。

→ 下肢が回復しやすく、改良Frankel分類 Cまで改善した症例、ASIA motor scoreが10点以上改善した症例が多かった。

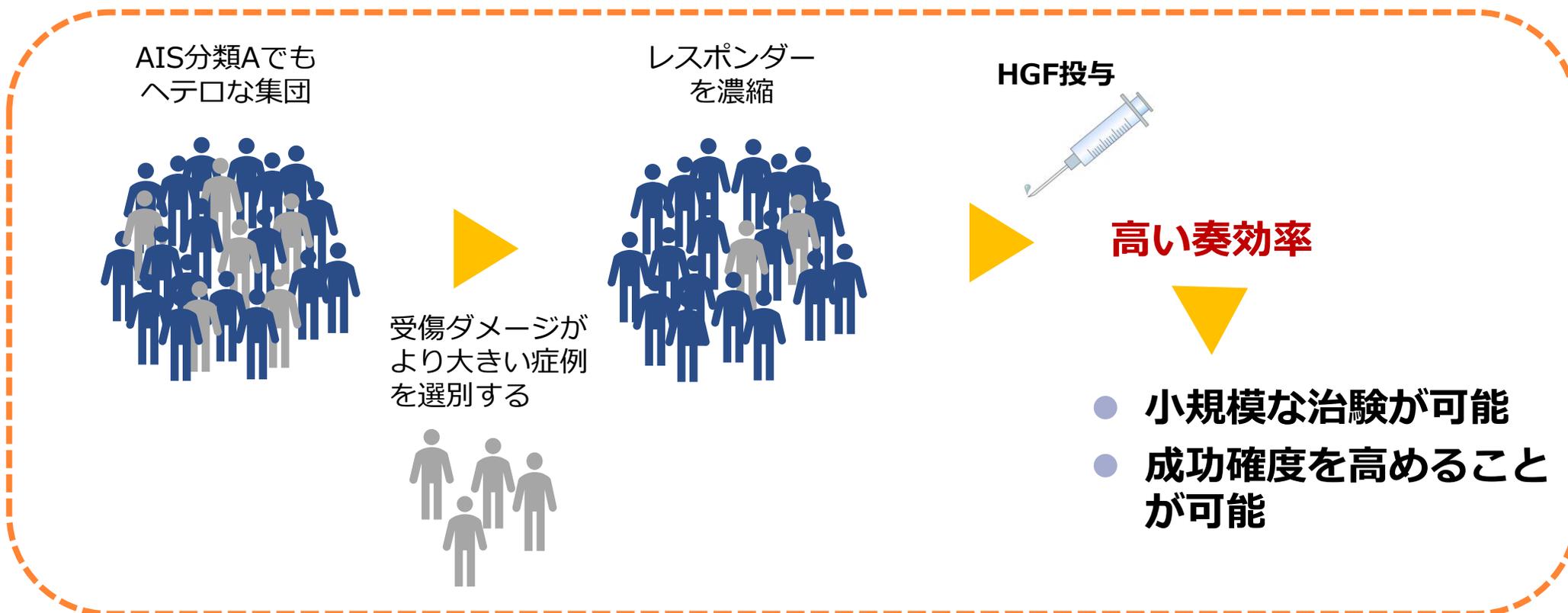
コロナ禍に実施

- **第Ⅲ相試験：**

壮年層の交通事故など高エネルギー外傷を伴うより重度な症例が多かった。

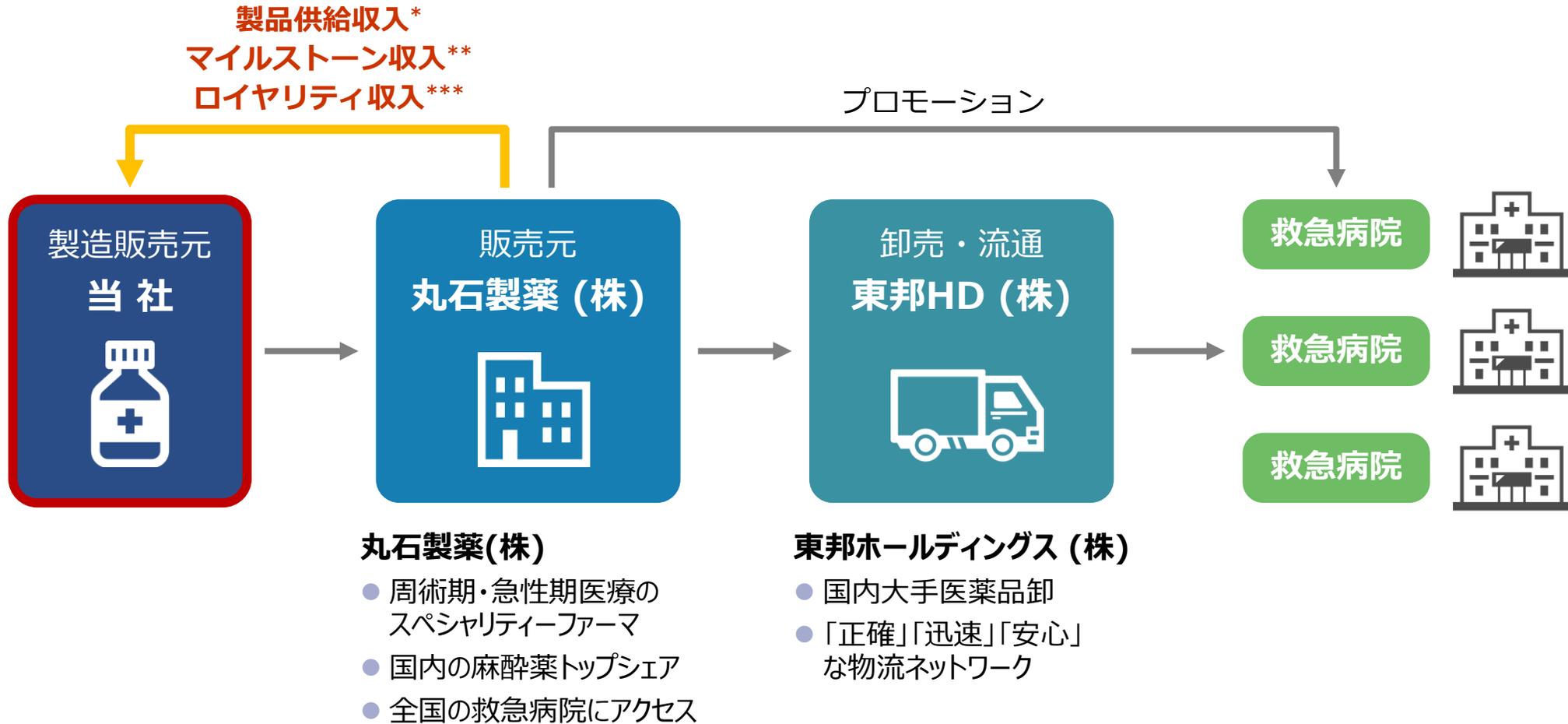
→ AIS Bまで改善した症例、ASIA motor scoreが5点以上改善した症例は多かったが、AIS CまであるいはASIA motor scoreが10点以上改善するまでには至らなかった。

臨床開発



*追加治験の概要につきましては、内容が決定次第もしくは状況が確定次第速やかにお知らせいたします。

脊髄損傷急性期 薬事承認後のサプライチェーン



* 薬価に一定率を乗じた単価で販売

** 開発マイルストーン収入 (製造販売承認申請時、薬価収載時 (先駆的医薬品指定制度の対象品目に指定された場合は一部を先行して受領) 及び適応追加承認時)、販売マイルストーン収入 (売上が年間で一定額を達成した時)

*** 販売開始後、年間売上に一定の料率を掛けた金額

開発パイプライン

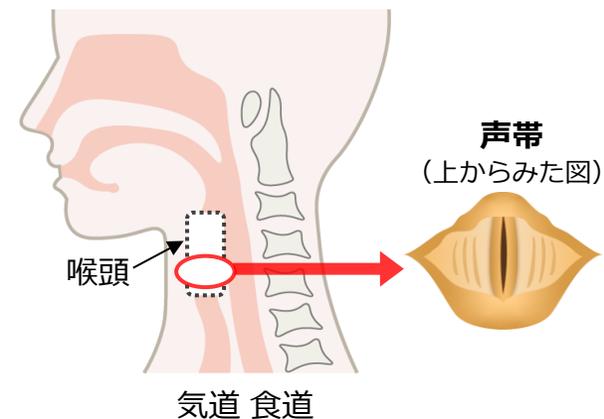
－ 声帯癒痕 －

声帯

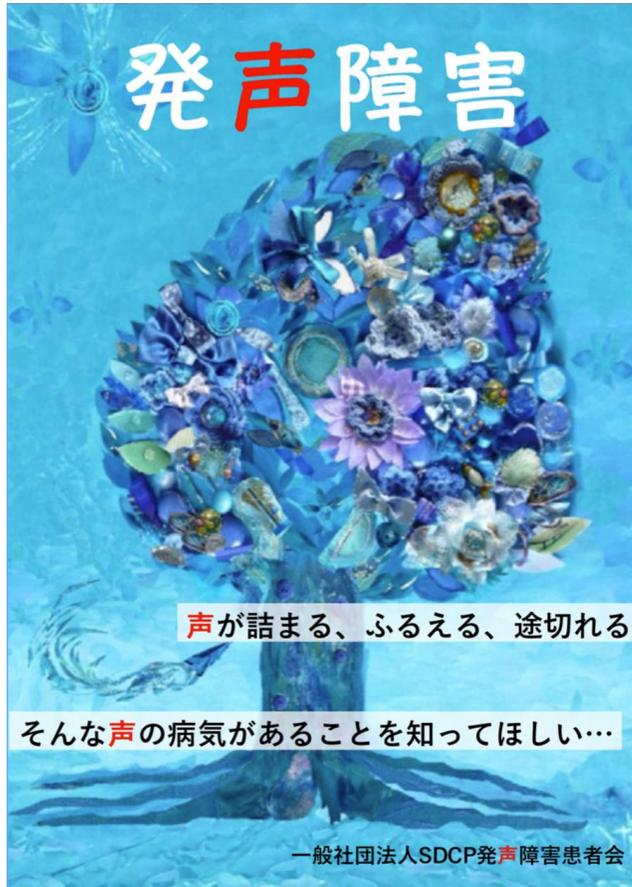
- 1秒間に200～300回振動して発声
- 表面は粘膜、内側は筋肉や靭帯からなる層構造

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



一般社団法人SDCP発声障害患者会
リーフレットより転載

授業中いつ当てられるか、ちゃんと声が出るか、毎日毎時間びくびくしてる。

「声が出なくて辛い」って打ち明けたら、「気にするな」って言われた。毎日死にたいほど悩んでるのに。

普通に返事したい。自分の名前言えるようになりたい。

当てられる授業の前は仮病使って保健室に行く。保健室の先生にはたくさん助けられてる。

「声の震えが気になる」と皆の前で指摘を受けた。

発声障害をもっと知ってもらいたい。担任に協力してもらったり、自分でも説明したり頑張ってる。

新学期の自己紹介が怖い。

教科書読むのを当てられて、途中で声が震えすぎて読めなくなったら、先生に「最後まで読んで」ってキレられた。

声出そうとしてから言えるまで5秒はかかる。誰もそんなに待ってくれない。

発表や本読みは辛い。友達が助けてくれます。

本読み。しーんとした教室で、自分の泣いてるみたいな震えた声だけが響く。本当に泣きそうになってくる。

友だちに「声いっつも震えてるからヤギのモノマネ上手そう！やってみて！」っていわれた。

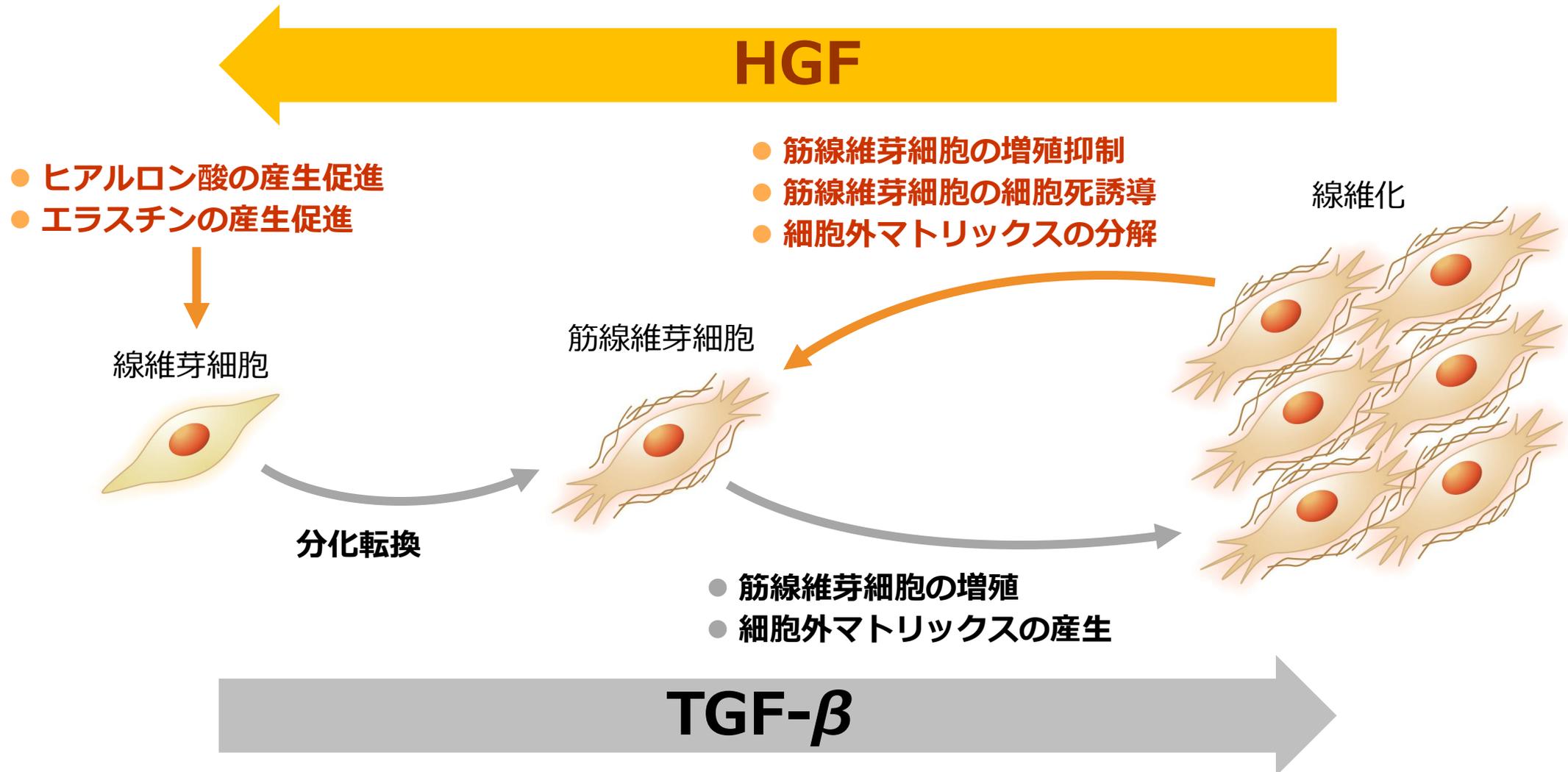
卒業式で返事ができるか、不安。

挨拶しない人だと思われのが辛い。

「おはよう」「ありがとう」「もしもし〇〇です」
誰もが毎日のように言っている言葉。でも、私たちにはそれが上手く言えません。
伝えたいことがあっても、声が出ない・・・
けど一番つらいのは、理解してもらえないこと。
「声の病気」なんだと知っていただけるだけで 気持ちがラクになります。
そして、私たちの聞きにくい声に ほんの少し耳を傾けようとしていただけたら 本当によろしいです。

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



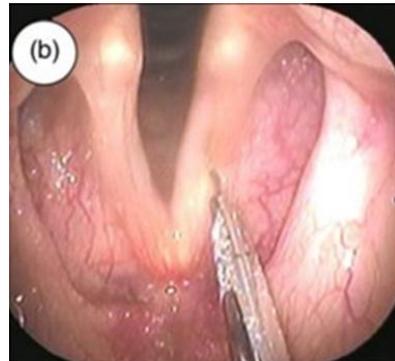
声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果

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

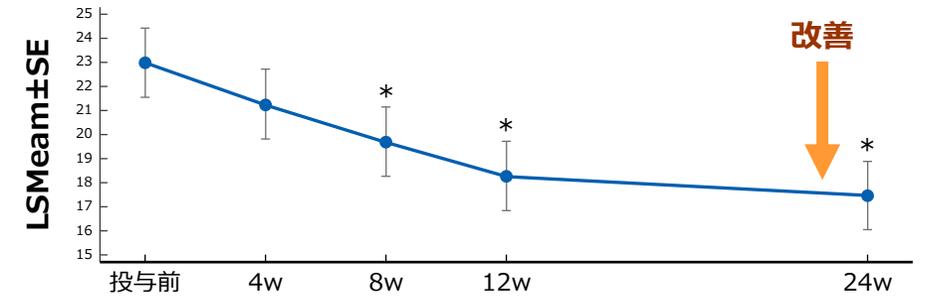
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1μg、3μg、10μg/片側声帯/回 1回/週、計4回、 両側声帯粘膜内局所投与
主要評価項目	安全性 ⇒ 良好であった
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 ⇒ 有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた



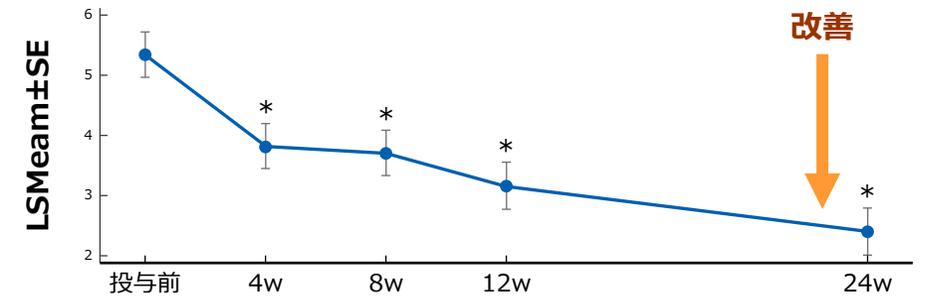
投与方法：

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)

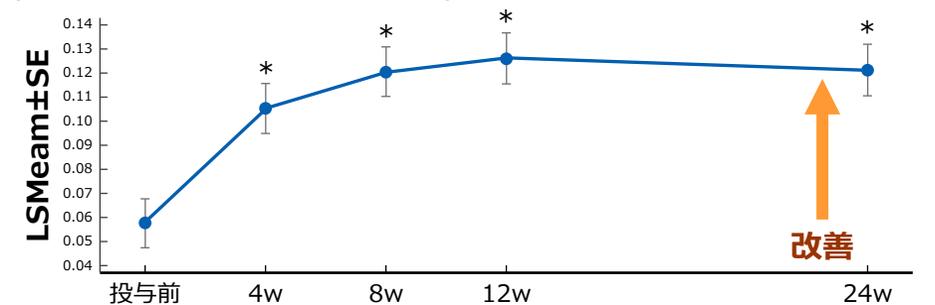


GRBAS (第三者による聴覚的評価)



Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

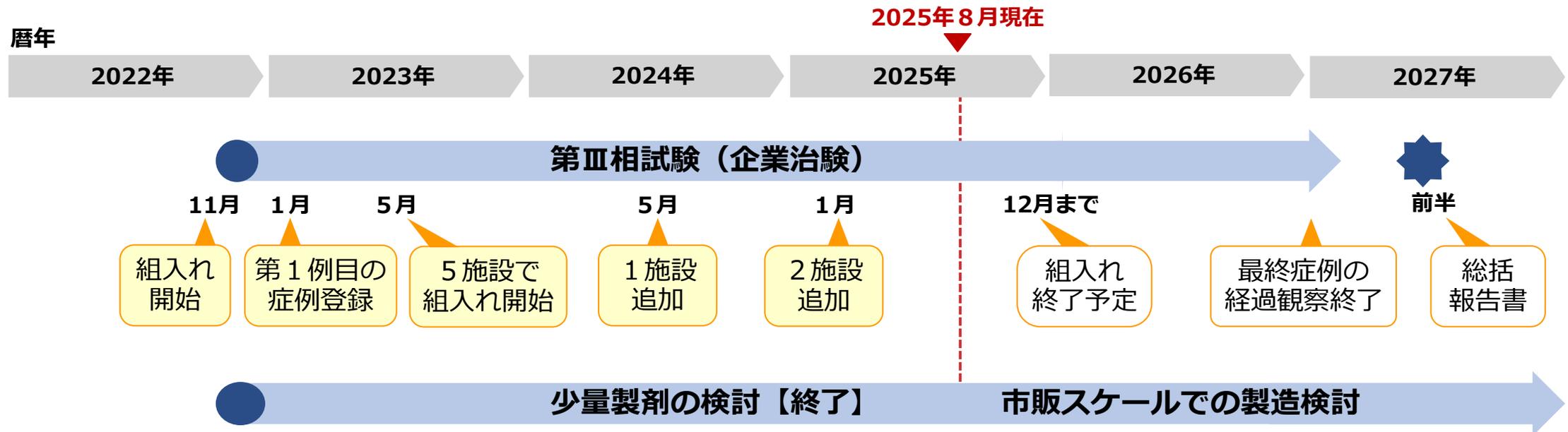


Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

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)



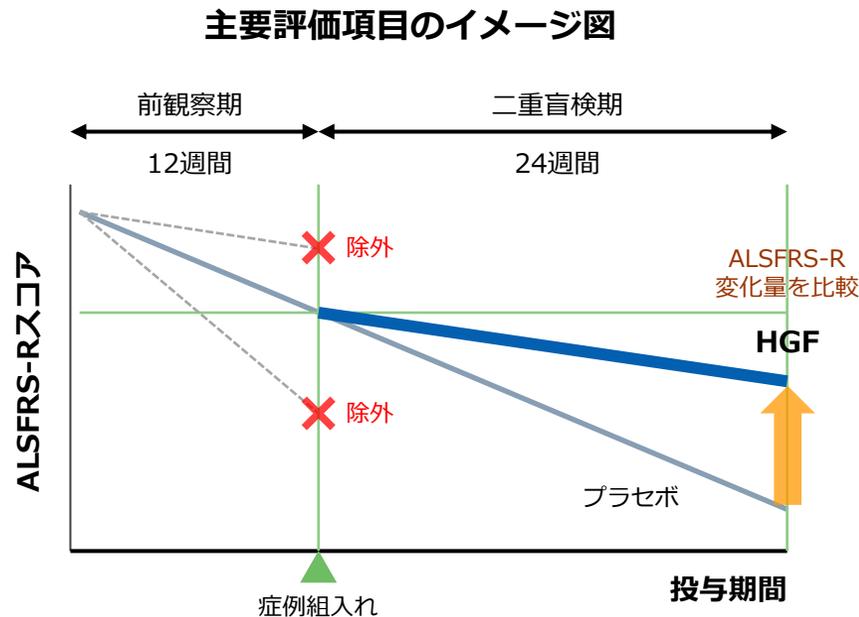
* 出典：令和3年度末現在 特定医療費 (指定難病) 受給者証所持者数、Arthur et al. Nat. Commun. (2016)

** 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

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（共同研究を2025年9月まで半年延長）

* 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3 四半期決算概況

2025年9月期業績予想の修正

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2025年9月期 通期業績予想 (2024年11月13日)	2025年9月期 通期業績予想 (2025年7月16日修正)	増減	主な増減理由
売上	272	71	△200	<ul style="list-style-type: none"> ● クラリス社の技術アクセスフィーは想定どおり ● 承認申請に係るマイルストーン収入相当分を減額
売上原価	63	—	△63	<ul style="list-style-type: none"> ● 承認申請マイルストーン収入に対応する原価の発生を見込まず
販売管理費	1,587	1,011	△576	<ul style="list-style-type: none"> ● 研究開発費の減少
研究開発費	1,223	702	△521	<ul style="list-style-type: none"> ● 声帯癬痕の治験の患者組入れペースの遅れ及び、新規開発に係る各種試験費用の期ずれ
営業損失	△1,379	△939	439	
営業外損益	—	△5	△5	
経常損失	△1,379	△945	433	
法人税等	1	1	—	
当期純損失	△1,380	△946	433	

2025年9月期第3四半期 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3四半期	2025年9月期 第3四半期	2025年9月期第3四半期 内容	2025年9月期 通期業績 【修正予想】
売上	61	53	● クラリス社からの技術アクセスフィー	71
売上原価	—	—		—
販売管理費	641	792		1,011
研究開発費	448	563	● 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	702
営業損失	△579	△738		△939
営業外損益	62	0		△5
経常損失	△517	△738		△945
法人税等	1	1		1
四半期純損失	△518	△739		△946

2025年9月期第3四半期 財政状態の概況

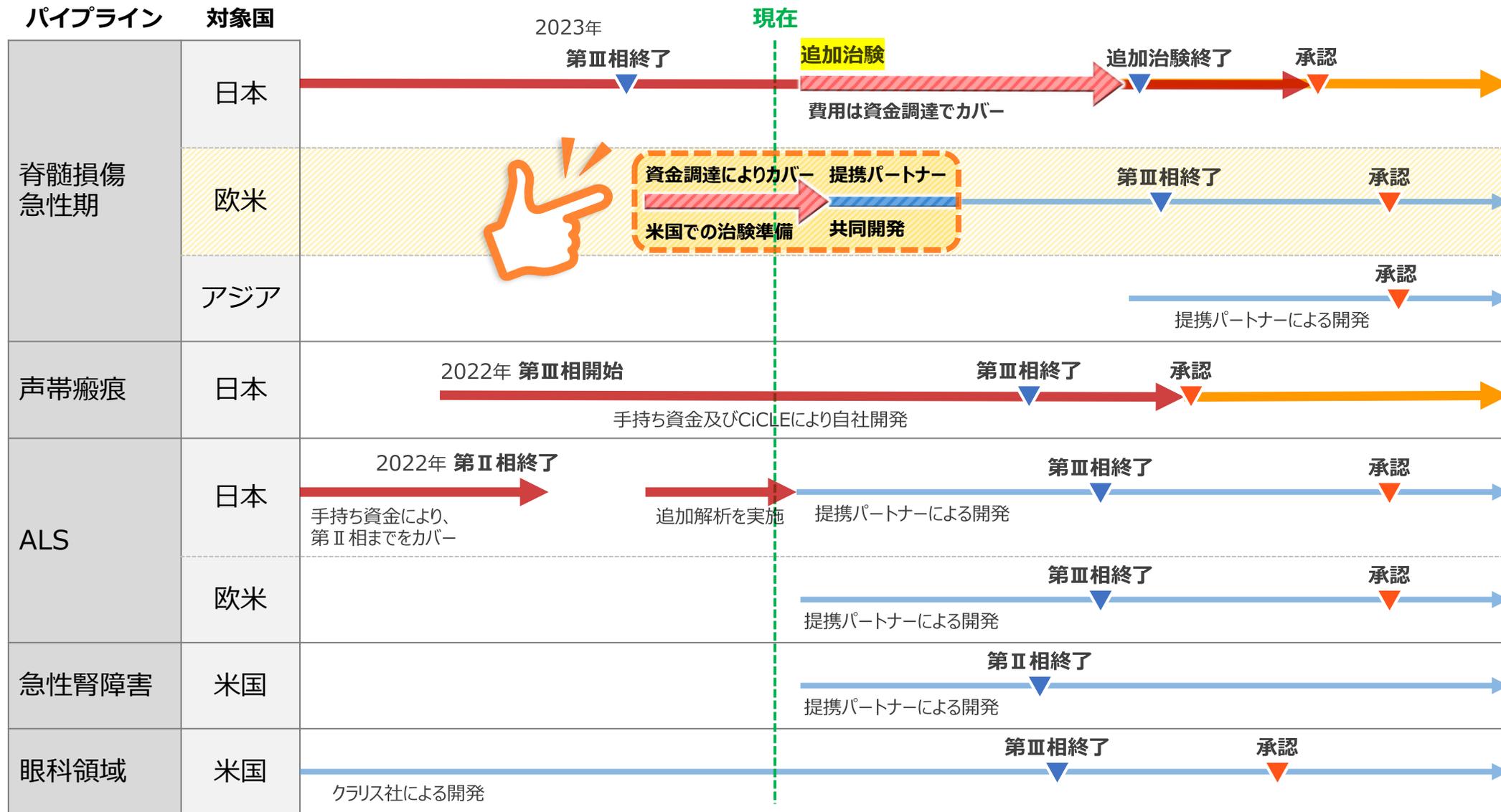
貸借対照表の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2024年9月期 期末	2025年9月期 第3四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	2,755	2,084	△671	● 現預金の減少
現預金	2,313	1,631	△681	● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	23	22	
資産合計	2,757	2,108	△648	
流動負債	128	58	△69	
固定負債	520	661	140	● AMEDからの受取補助金に対応する長期預り金の増加
負債合計	648	719	70	
純資産合計	2,108	1,388	△719	● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,757	2,108	△648	
自己資本比率	75.8%	64.6%		

成長戦略

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。

資金調達により
国内レイトステージ
パイプラインの
開発を推進

- 脊髄損傷急性期
 - 承認申請のための追加データの取得（追加治験）
- 声帯癒痕
 - 承認申請に必要な市販用製剤の試験製造



国内で 2 製品を上市し、企業価値を向上させる

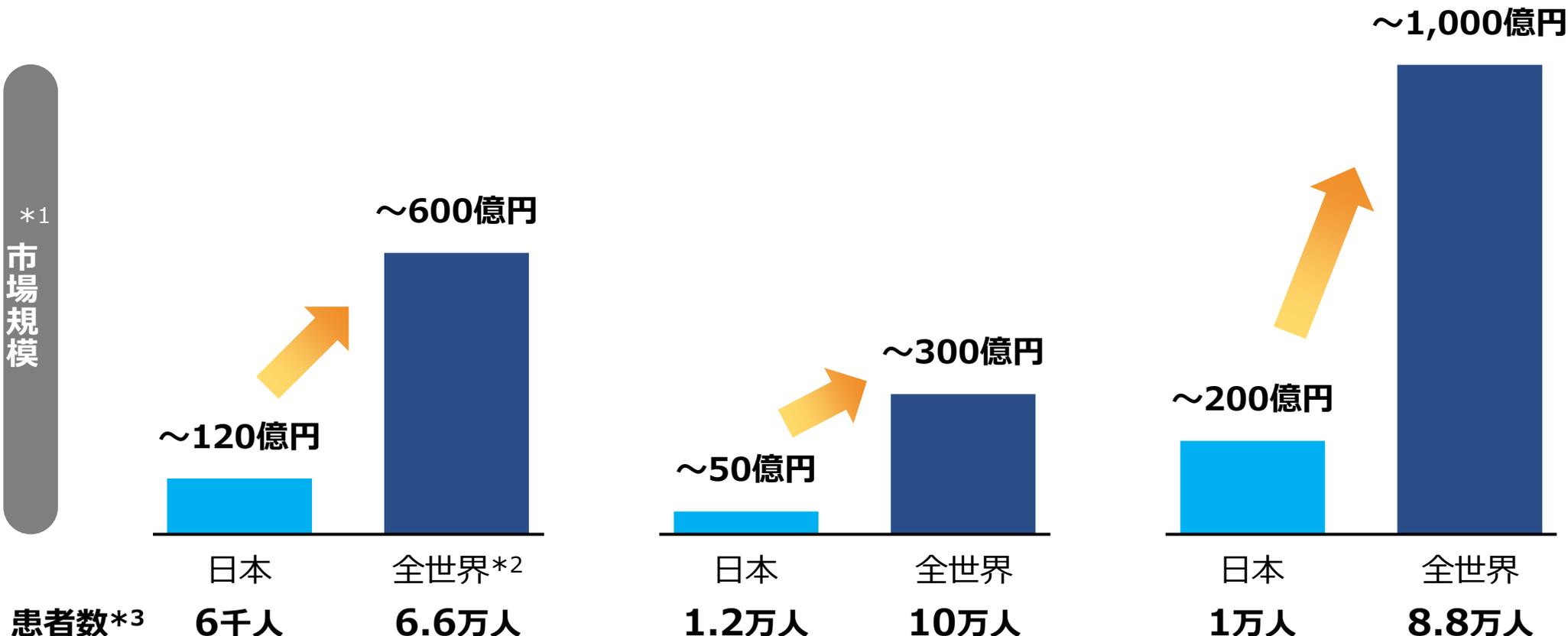
「創薬ベンチャーからバイオ製薬企業へ」

脊髄損傷急性期

声帯癒痕

ALS

*1
市場規模



*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

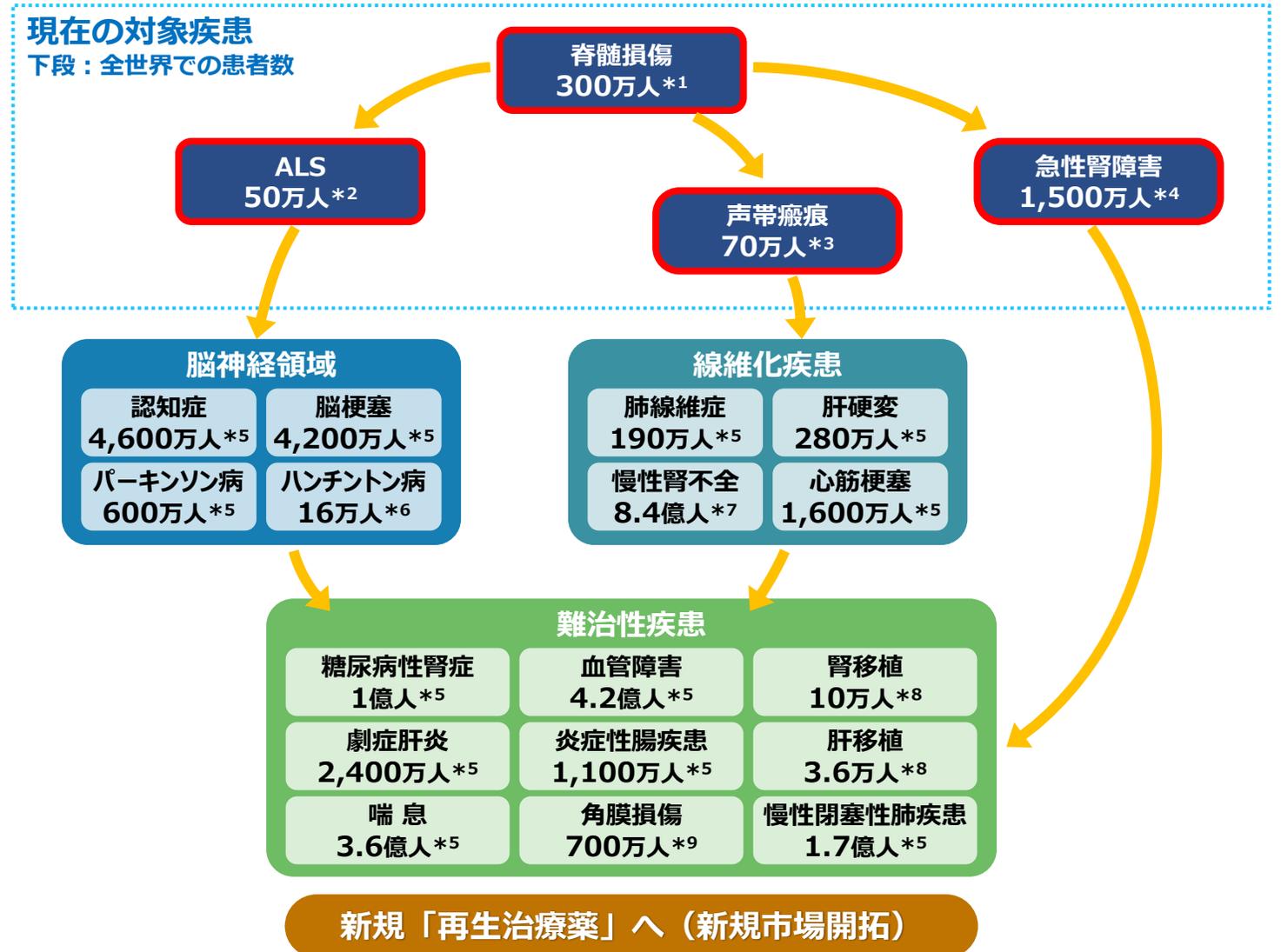
*3 出典：脊髄損傷急性期－坂井宏旭ら「わが国における脊髄損傷の現状」(2010)、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2019) 及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計、声帯癒痕－角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究、平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業 及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計、ALS－平成30年度末現在 特定医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



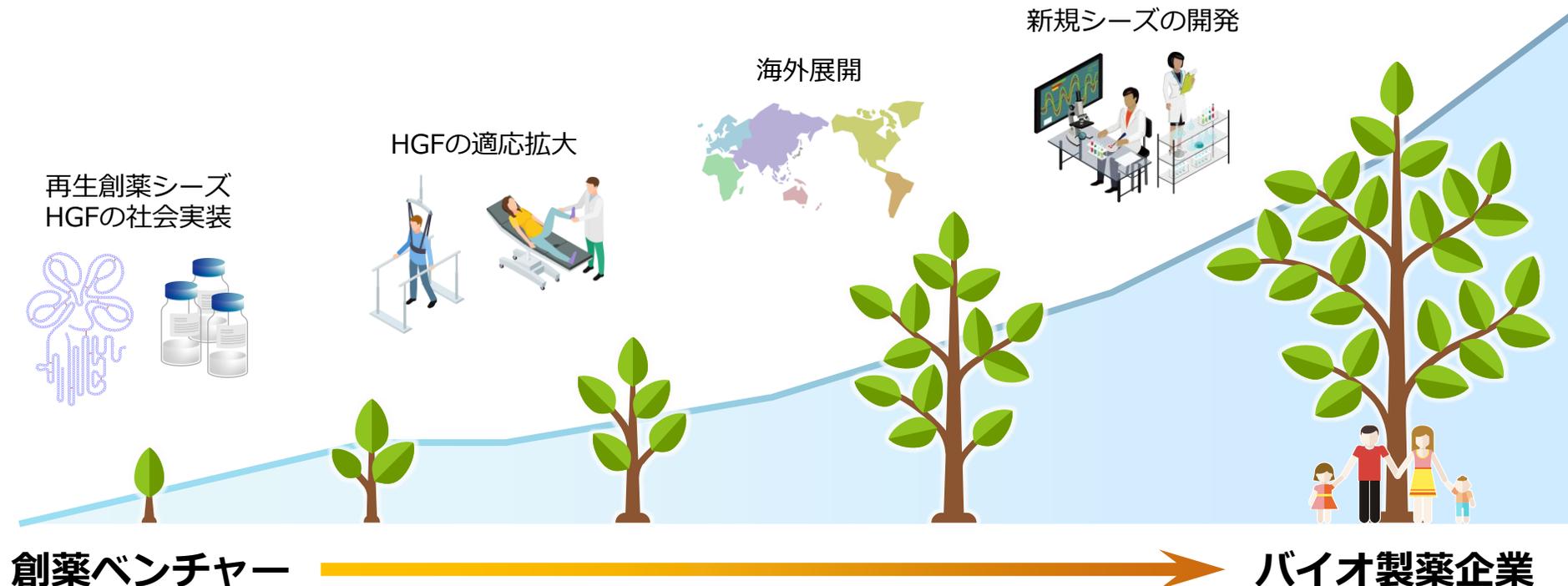
- 脊髄損傷急性期から慢性期への適応拡大
- 声帯癒痕から他の線維化疾患への適応拡大
- その他の難治性疾患への適応拡大



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/>