



事業計画及び成長可能性に関する資料

株式会社ケイファーマ

東証グロース：4896

2023.10.17

Index

- 01 / 会社概要
- 02 ハイライト
- 03 事業概要
- 04 パイプライン
- 05 成長戦略

当社は、高齢化社会での市場成長が見込める中枢神経疾患領域を重点領域として、企業とアカデミアで経験豊富なリーダーが先導して、iPS細胞を活用した創薬と再生医療により、世界の医療イノベーションに挑む慶應義塾大学発ベンチャー。



K Pharma

iPS創薬・再生医療

Management

- 中枢神経領域に強いエーザイでの長年の経験を持つ・福島
- 脳、神経領域の世界的な研究者である・岡野
- 整形外科領域の世界的な研究者である・中村

豊富な
経験・知識

神経難病・
神経再生

新薬創出・
細胞移植

Last frontier

今後伸びていく中枢神経疾患市場

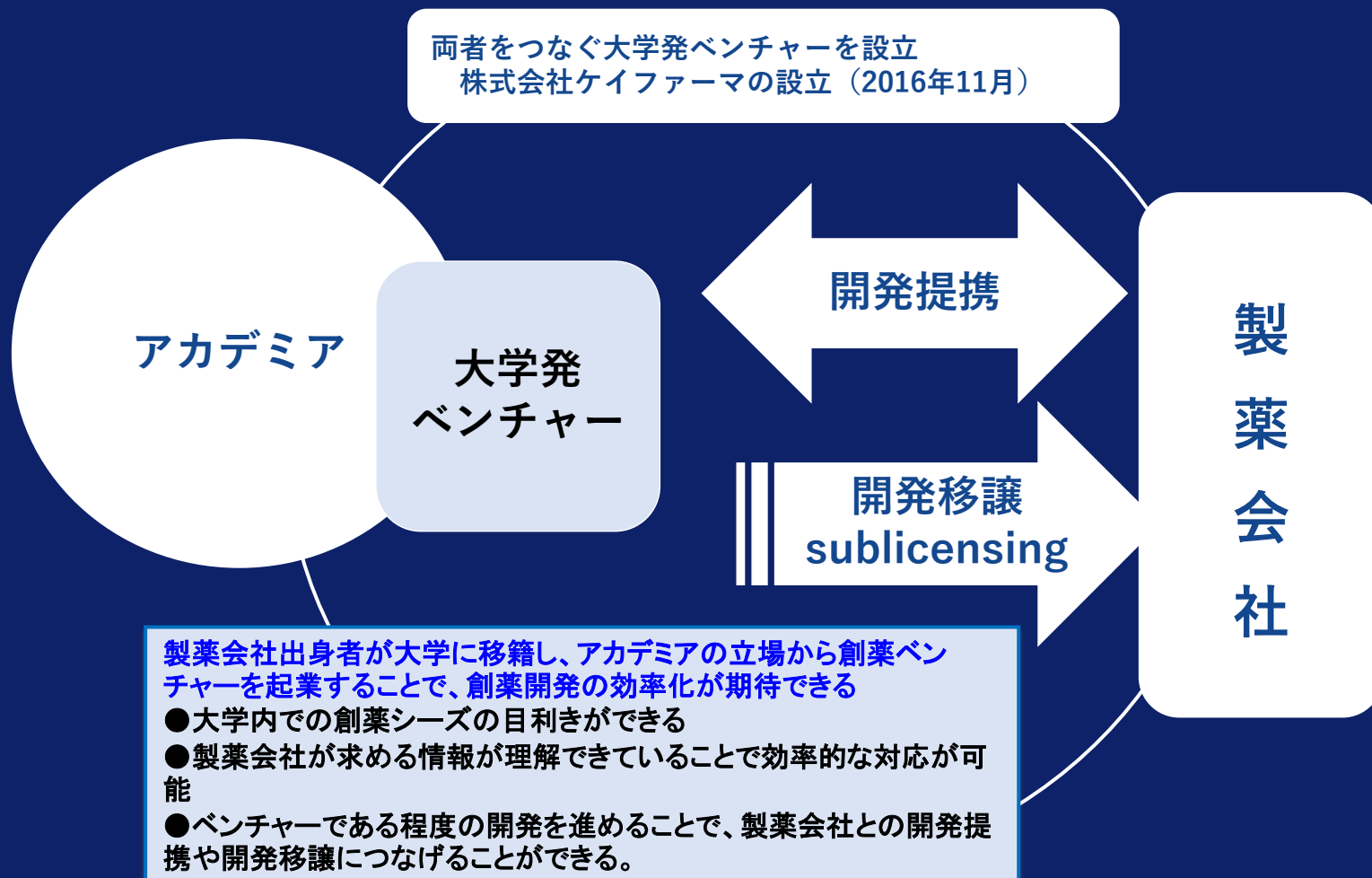
Unmet Medical Needs

世界中のアンメットメディカルニーズ*を満たす

*未だ有効な治療法が確立しておらず、患者からの要望が大きい疾患

製薬会社と大学のオープンイノベーションが盛んであるが、未だ明確な成果は出ていない

☞ 製薬会社から大学に異動し、大学発ベンチャーを創設することで効率的な成果が生まれるとの信念のもとで対応



経営理念・経営方針

当社は慶應義塾大学発のバイオベンチャーであり、
慶應義塾大学の創業者である福沢諭吉先生と、
初代医学部長である北里柴三郎先生の格言を、
当社の経営理念と経営方針の基盤としている。

— 当社経営理念 —

医療イノベーションを実現し、医療分野での社会貢献を果たす

— 当社経営方針 —

再生医療及び創薬の研究開発を踏まえ、一刻も早く、
患者様に有効な医薬品を提供すること

福沢 諭吉 (慶應義塾大学 創業者)

「未だ試みずして、先ず疑うもの、勇者にあらず」
やってもみないで「事の成否」を疑うな

北里 柴三郎 (慶應義塾大学 初代医学部長)

「凡そ学識は俗間に普ねからざれば其の功德大ならず」

研究だけをやっていては駄目だ
それをどうやって世の中に役立てるかを考えよ

称	号	株式会社ケイファーマ (K Pharma, Inc.)	
設	立	2016年11月1日	
事	業	内	容
		<ul style="list-style-type: none"> ・再生医療等製品の研究・開発・製造・販売 ・医薬品の研究・開発・製造・販売 	
役	員	構	成
		代表取締役社長CEO	福島 弘明
		取締役CSO* (慶應医学部 教授)	岡野 栄之
		取締役CTO* (慶應医学部 教授)	中村 雅也
		取締役CFO	松本 真佐人
		社外取締役	八田 圭子
		社外監査役 (常勤)	豊川 峻輔
		社外監査役 (公認会計士、税理士、中企診断士)	西田 恭隆
		社外監査役 (弁護士)	五十畑 亜紀子
		* CSO : Chief Science Officer (最高科学責任者)	
		* CTO : Chief Technology Officer (最高技術責任者)	
社	員	17名 (Ph.D. 9名) 2023年 8月31日時点	
Scientific Advisors	吉松 賢太郎	(株式会社凜研究所 取締役社長、元エーザイ株式会社常務執行役)	
	中西 淳	(AMED プログラムオフィサー、元武田薬品工業株式会社)	
	矢野 真人	(新潟大学大学院歯学総合研究科准教授)	
所	在	地	本 社 東京都港区六本木7-7-7 Tri-Seven Roppongi 8F
		研 究 所	神奈川県藤沢市村岡東2-26-1 湘南iPark ケイファーマ・ラボ
			東京都新宿区信濃町35 慶應義塾大学 総合医科学研究棟 ケイファーマ・慶應 脊髄再生ラボ



本社 Tri-Seven Roppongi 8F



湘南iPark ケイファーマ・ラボ



慶應義塾大学 総合医科学研究棟
ケイファーマ・慶應 脊髄再生ラボ

取締役



代表取締役社長（CEO） / 創業者

福島 弘明

慶應義塾大学 医学部准教授（生理学教室）
（現任）

1988 - 2014 エーザイ(株)
（探索研究、ポストン駐在、人事部等）



取締役（CSO） / 創業科学者

岡野 栄之

慶應義塾大学 医学部教授（生理学教室）
（現任）

日本再生医療学会 理事長（現任）
ISSCR（国際幹細胞学会） Vice President
（現任）



取締役（CTO） / 創業科学者

中村 雅也

慶應義塾大学 医学部教授（整形外科学教室）
（現任）

副学部長（現任）
日本再生医療学会 常務理事（現任）



取締役（CFO）

松本 真佐人

2016-2021 株式会社ストライプインターナショナル 取締役

2005-2016 みずほ証券(株)

2001-2005 PwCコンサルティング(株)



社外取締役（独立）

八田 圭子

1984-2011 日本航空(株)
（有）八光 取締役社長（現任）
（株）寺岡製作所 社外取締役（現任）

監査役

豊川 峻輔

常勤監査役

西田 恭隆

非常勤監査役(公認会計士・税理士、中小企業診断士)

五十畑 亜紀子

非常勤監査役(弁護士)

サイエンティフィックアドバイザー

吉松 賢太郎

元エーザイ(株)常務執行役、(株)凛研究所 代表取締役社長（現任）

中西 淳

元武田薬品工業(株)、AMEDプログラムオフィサー（現任）

矢野 真人

新潟大学大学院歯学総合研究科 准教授（現任）

岡野栄之は、当社の事業全般について、長年の研究で培った基礎から臨床にかけての科学的な見地から推進。

研究実績：ヒト中枢神経系の再生医学領域における研究、脊髄損傷の再生医療の開発、ALS等に対するiPS細胞を活用した創薬の研究開発等



岡野 栄之 Hideyuki Okano 取締役CSO (医学博士)

専門：分子神経生物学、発生生物学、再生医学

受賞歴

1989年 米国ジョンズ・ホプキンス大学医学部留学
 1994年 筑波大学基礎医学系分子神経生物学教授
 1997年 大阪大学医学部神経機能解剖学研究部教授
 2001年 慶應義塾大学医学部生理学教室教授 (現任)
 2008年 オーストラリア・Queensland大学客員教授 (現任)
 2015年 慶應義塾大学医学部長
 2017年 お茶の水女子大学学長特別招聘教授 (現任)
 2017年 北京大学医学部客員教授 (現任)
 2019年 当社 取締役就任 (現任)
 2021年 日本再生医療学会 理事長 (現任)
 2022年 米国マサチューセッツ工科大学 (MIT) 客員教授 (現任)
 2023年 ISSCR (国際幹細胞学会) Vice President (現任)

1988年 慶應義塾大学医学部同窓会・三四会より三四会賞受賞
 1995年 加藤淑裕記念事業団より加藤淑裕賞受賞
 1998年 慶應義塾大学医学部より、北里賞受賞
 2001年 ブレインサイエンス振興財団より、塚原伸晃賞受賞
 2006年 文部科学大臣表彰・科学技術賞受賞
 2007年 Stem Cells誌よりLead Reviewer Award 受賞
 2008年 井上科学振興財団より井上學術賞
 2009年 紫綬褒章受章「神経科学」
 2014年 第51回ベルツ賞(1等賞)受賞
 2020年 第18回「高峰記念第一三共賞」受賞
 2021年 上原賞受賞
 2022年 持田記念學術賞受賞

h-index ※

118

Citation (引用数)

55,860

Publication (論文数)

1,073

※：被引用数がh回以上である論文がh本以上あることを満たす最大の数値hであり、研究者の研究実績を定量化する指標、米国科学アカデミーに入会する生物医学系科学者の平均のh-index57 (Hirsch, J. E. An index to quantify an individual's scientific research output. Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America. 2005, vol. 102, no. 46 p. 16569-16572.)

出典：慶應義塾研究者情報データベース 2023.6時点

中村雅也は、主に再生医療事業について、長年の整形外科医としての経験で培った臨床医学の見地から推進。
 研究実績：脊髄損傷等の整形外科領域での再生医療の研究開発等



中村 雅也 Masaya Nakamura 取締役CTO (医学博士)

専門：脊髄一般、脊髄疾患、脊髄腫瘍、脊髄再生

受賞歴

- 1998年 米国ジョージタウン大学客員研究員
- 2015年 慶應義塾大学医学部教授 (整形外科) (現任)
- 2017年 慶應義塾大学医学部 学部長補佐
- 2019年 日本再生医療学会 常務理事 (現任)
- 2019年 当社取締役就任 (現任)
- 2021年 慶應義塾大学医学部 副医学部長 (現任)

- 1996年 慶應義塾大学医学部三四会奨励賞
- 2006年 日本整形外科学会・学会奨励賞,
慶應義塾大学医学部三四会・北島賞
- 2014年 第51回 エルウィン・フォン・ベルツ賞(First Prize),
日本再生医療学会賞
- Cervical spine research society Basic science research award
H16,17,19,20,R2受賞

h-index ※

64

Citation (引用数)

18,109

Publication (論文数)

693

※：被引用数がh回以上である論文がh本以上あることを満たす最大の数値hであり、研究者の研究実績を定量化する指標、米国科学アカデミーに入会する生物医学系科学者の平均のh-index57 (Hirsch, J. E. An index to quantify an individual's scientific research output. Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America. 2005, vol. 102, no. 46 p. 16569-16572.)
 出典：慶應義塾研究者情報データベース 2023.6時点

大手製薬での創薬研究、ボストン研究所駐在、本社製品戦略、人事で経営マネジメントを歴任。



福島 弘明 Komei Fukushima 代表取締役社長（学術博士・経営学修士）

職歴

- 1988年 エーザイ株式会社入社
- 2006年 Eisai Research Institute of Boston, Inc.
- 2014年 エーザイ株式会社退職
- 2014年 慶應義塾大学医学部非常勤講師
- 2015年 慶應義塾大学医学部特任准教授（現任）
- 2016年 株式会社ケイファーマ設立（代表取締役社長（現任））

学歴

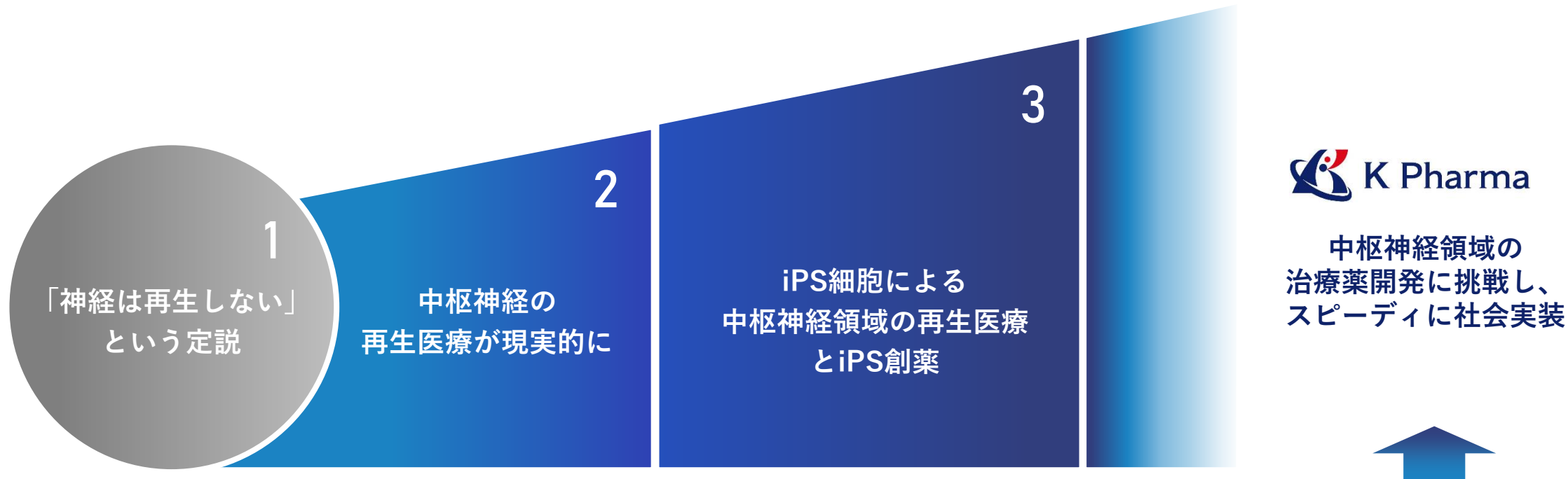
- 1999年 広島大学大学院 博士課程修了（学術博士/ Ph.D.）
- 2020年 慶應義塾大学大学院 経営管理研究科修了
（経営学修士/ MBA）

神経の再生は不可能という長年の常識に対して、当社創業者であり取締役CSOである岡野がヒト脳内の神経幹細胞*1の存在を示す。

*1 増殖・継代を繰り返すことができる自己複製機能と、中枢神経系を構成する細胞を作り出すことができる多分化機能を有する未分化な細胞



神経再生の可能性を見出し、臨床での神経再生が現実的なものとなってきた。



神経は再生しない
一般常識として「神経は再生しない」ことが長らく受け入れられてきた。

常識を打ち破る神経研究の進展
当社創業科学者である岡野が、神経幹細胞のマーカである遺伝子「musashi」を発見。世界で初めて*2、ヒト脳の中にも神経幹細胞が存在することを示した。

2007年、山中伸弥京都大学教授によるヒトiPS細胞の樹立により、以下の可能性が示された
①iPS細胞を活用した細胞移植治療/再生医療
②iPS細胞による病態解明・薬効評価

慶應義塾大学において、岡野栄之と中村雅也の研究チームが、脊髄損傷の治療に対してiPS細胞から分化誘導した神経細胞を活用する研究を開始、岡野栄之の研究チームが、ALSの患者様由来のiPS細胞から樹立した神経細胞を活用したALS治療薬の開発に着手。

*2 出典：Annals of Neurology 43:576-585、1998

Index

01 会社概要

02 // ハイライト

03 事業概要

04 パイプライン

05 成長戦略

再生医療
iPS創薬

h-index
※2

当社の
パイプライン数

iPS創薬貢献
市場規模 (世界)
精神・神経系※3

再生医療
市場規模 (世界)
※4



iPS細胞活用
で世界初

182

11本
脊髄損傷
脳梗塞
ALSなど
(2023.7時点)

6.1兆円
2040年

38.0兆円
2050年

※1

- ① 亜急性期脊髄損傷の臨床試験 (再生医療)
- ② ALSの治験 (iPS創薬)

※1: iPS細胞創薬と医療ビッグデータ が導くALSの新たな治療薬開発(2023年6月2日慶應義塾大学リリース)

「亜急性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療」の臨床研究について (第1症例目への細胞移植実施) (2022年1月14日慶應義塾大学リリース)

※2: 発表した論文のうち、被引用数がh回以上ある論文がh本以上ある場合これを満たす数値(当社の岡野、中村合計値)2023.6時点

※3: Arthur D Little/令和2年度疾患特異的iPS細胞バンク事業の利活用に関する調査/最終報告書2021年3月・疾患領域別iPS創薬貢献市場規模(世界)

Arther D Littleが定義するブレイクスルー (BT) シナリオ (現状の技術・サイエンスから考えて、将来の進展によっては実現可能性があるブレイクスルーを要求されるシナリオ) の場合。

成り行きシナリオ (現状の技術・サイエンスの状況を踏まえると十分実現可能な範囲でのブレイクスルーを要求されるシナリオ) の場合、3.0兆円

※4: 経済産業省・再生医療の将来市場規模予測(国内)2020.3時点

1 世界的な創業科学者が率いる研究チーム

- 創業科学者兼取締役として、グローバルな研究業績を有する慶應義塾大学医学部岡野教授・中村教授が在籍
- 製薬会社（エーザイ、タケダ）での創薬研究マネジメント経験者をサイエンティフィックアドバイザーに
- 研究員はほとんどのメンバーが博士号を有し、アカデミアや企業での創薬研究経験を有する

2 創薬研究マネジメント経験と産学連携

- 製薬会社（エーザイ）での探索研究、臨床開発、ボストン研究所駐在、本社機能（製品戦略、人事）での経営マネジメントを経験した福島が代表取締役社長を担当
- 慶應義塾大学・北里大学などのアカデミアや、民間企業との良好な関係に基づく産学連携の推進に取り組む

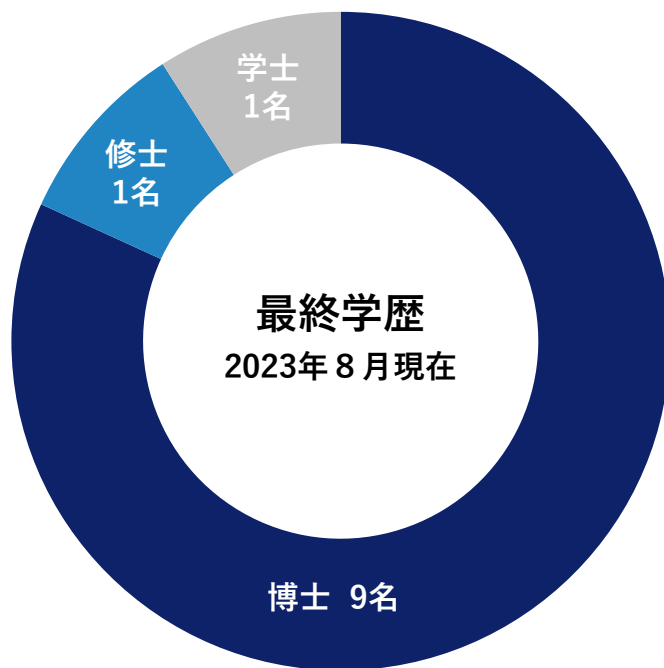
3 最先端の研究

- 世界で初めてとなるiPS創薬による医薬品の開発（神経難病と神経変性疾患等）、および世界初となるiPS細胞を活用した再生医療（脊髄損傷や脳梗塞等）に取り組む
- 特に神経変性疾患の病態解明や創薬研究、神経幹細胞を用いた再生医療研究においては、世界トップクラス*である

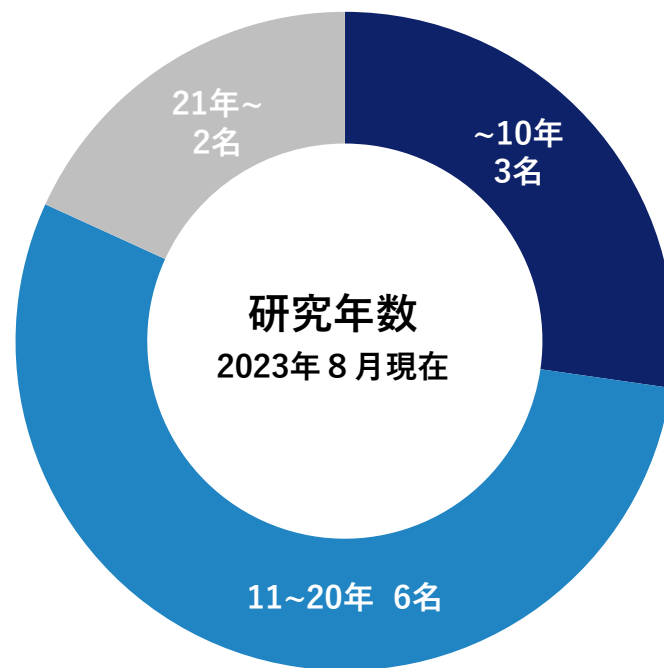
* 世界で初めてiPS細胞から作製した神経前駆細胞を亜急性期の脊髄損傷の患者に移植

* 世界で初めて疾患特異的iPS細胞（病気の患者様の細胞から樹立したiPS細胞）を活用してALSに一定の有効性を示す化合物を見出す

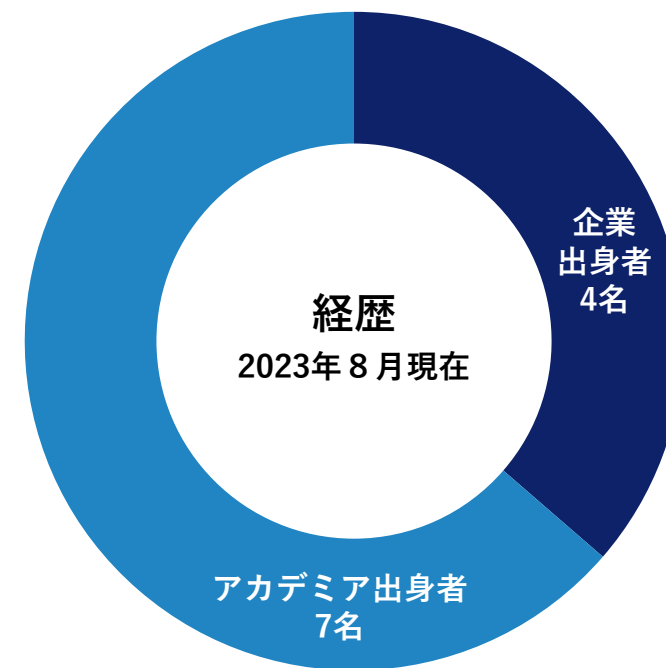
アカデミア出身で基礎研究能力が高い研究者と、臨床に向けた開発力を有する製薬会社出身の研究者のバランスの取れたメンバー構成。



多くのメンバーが博士号保有者



11年以上の研究歴を有するメンバーが大多数



アカデミアと製薬会社出身者のバランスのとれた経歴

岡野取締役CSO、中村取締役CTOの研究業績や知名度により、多数の有力な研究機関とネットワークを構築。新規の研究において各分野におけるトップレベルの機関との共同研究がいつでも可能。

Academia

慶應義塾大学医学部
(ALSを始めとした神経難病創薬、脊髄損傷)



北里大学
(加齢性難聴創薬)

国内外の大学機関との
連携拡大へ

大阪医療
センター
(慢性期脳梗塞、
慢性期脳出血、
慢性期外傷性脳損傷)

国内外の
研究機関との
連携拡大へ

Industry

アルフレッサファーマ (ALS創薬)
導出先製薬会社

▶ 国内外の製薬企業との連携拡大へ



CDMO
(製造受託会社)・
流通卸会社
(再生医療事業)

バリューチェーン
強化に向けた
連携拡大へ

湘南アイパーク
Link-J
再生医療学会
ISSCR
(国際幹細胞学会)

研究施設や学会等
を通じて、オープ
ンイノベーション
を推進

Index

01 会社概要

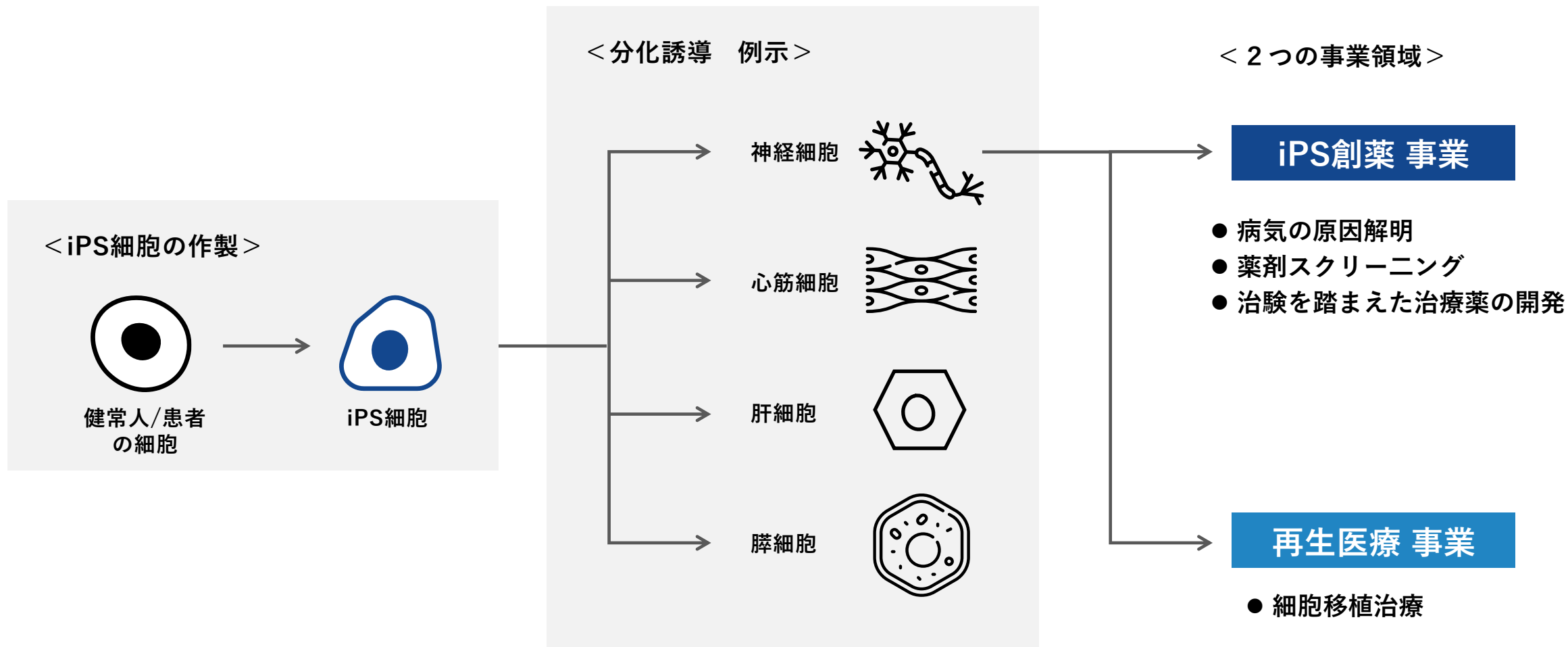
02 ハイライト

03 / 事業概要

04 パイプライン

05 成長戦略

当社は疾患特異的iPS細胞*を活用した創薬（iPS創薬）と、iPS細胞を活用した再生医療を主たる事業とする。



iPS創薬プラットフォームを活用したiPS創薬事業、iPS細胞由来の神経前駆細胞を移植する再生医療事業の両輪で事業を展開。



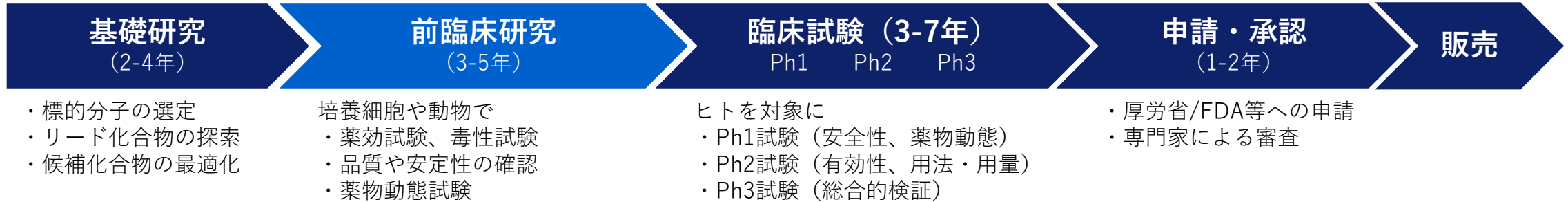
リードするALS治療薬開発と亜急性期脊損を対象とする再生医療の臨床試験は、いずれもiPS細胞を活用した世界初の取り組みである。



課題

- ・ 病因になる細胞を患者から採取し、増やすことは困難
- ・ ヒトと動物（実験モデル動物）では薬効が異なる
- ・ 難病の場合、再現できる動物モデルが限定的
- ・ 新薬開発には数百億～数千億円のコストがかかる
- ・ 前臨床研究で長期間の開発期間が必要

これまでの創薬段階イメージ



iPS創薬段階イメージ



解決

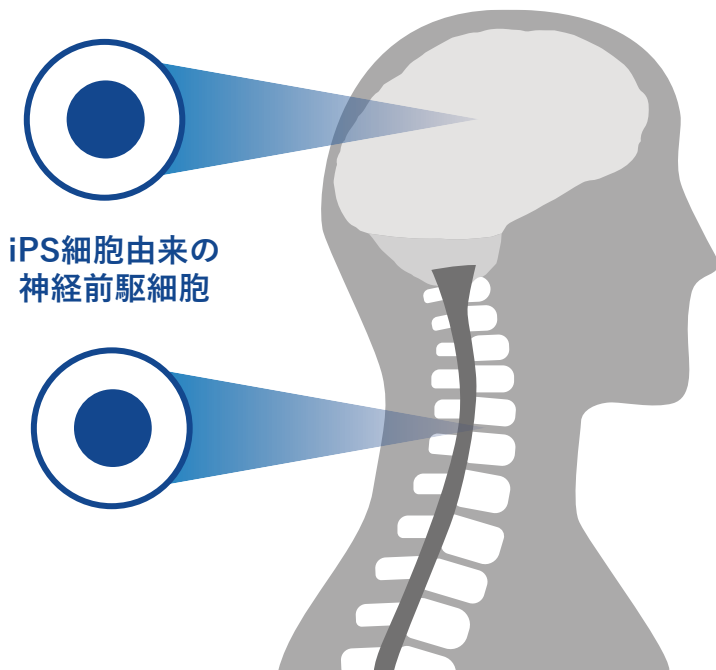
- ・ 既に一定の安全性が確認されている既存薬を活用することにより、一から化合物を合成する必要がなく、開発時間も費用も抑えられる。
- ・ 直接病気の患者様から樹立したiPS細胞（疾患特異的iPS細胞）を活用することで、試験管内で病態を再現して、直接的にヒトの細胞で薬効を確認することができる。（動物実験を行わずに臨床試験を行うことができる。）
- ・ 既存薬を活用するドラッグリポジショニングについては新薬開発に必要な期間を3～12年、費用を50～60%削減できるとの報告*もある。

疾患特異的iPS細胞 x 既存薬で費用・期間の大幅削減と開発効率の向上

神経損傷疾患である脊髄損傷に対して、他家iPS細胞*から分化誘導した神経前駆細胞（神経幹細胞）を移植することで損傷部位の治療を行う再生医療の研究開発を行う。* 他人の細胞から樹立したiPS細胞

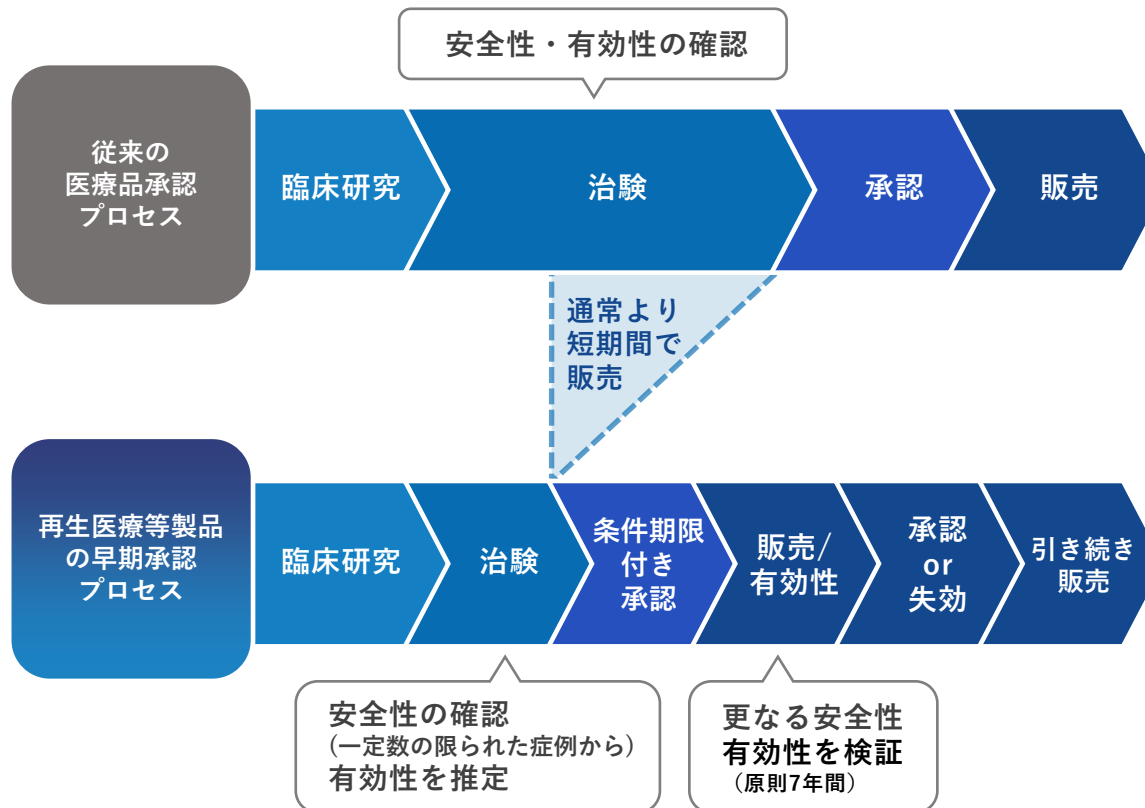
iPS細胞による人体機能回復の実現へ

病気や事故によって失われた身体の臓器や組織をiPS細胞等を用いて再生し、人体機能の回復を目指す。
移植した細胞が生体に定着して、神経を再生することを目指す

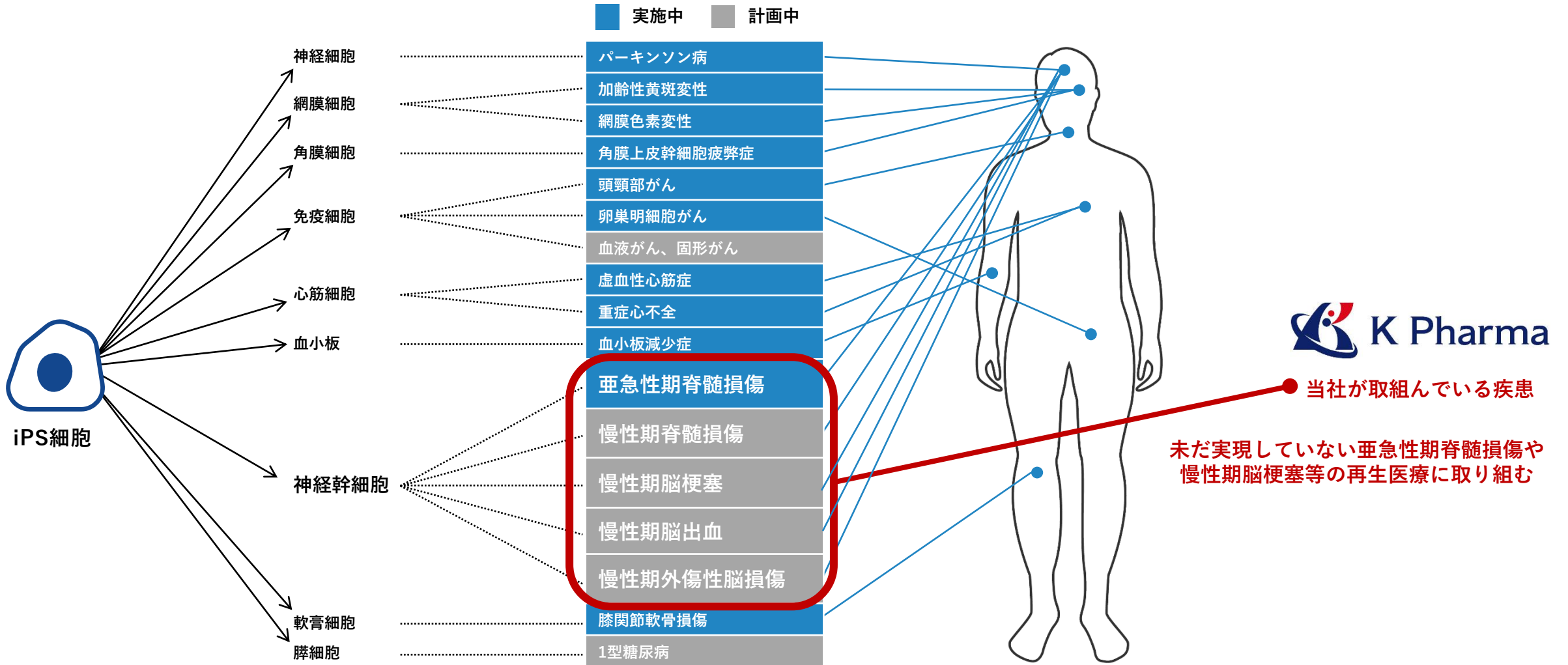


薬機法の改正を踏まえ、早期承認制度で再生医療の早期実用化が現実的に

薬機法では新たに「再生医療等製品」を定義し、治験において、その安全性の確認と有効性が推定された場合に、条件および期限付きでの早期承認が可能になった。



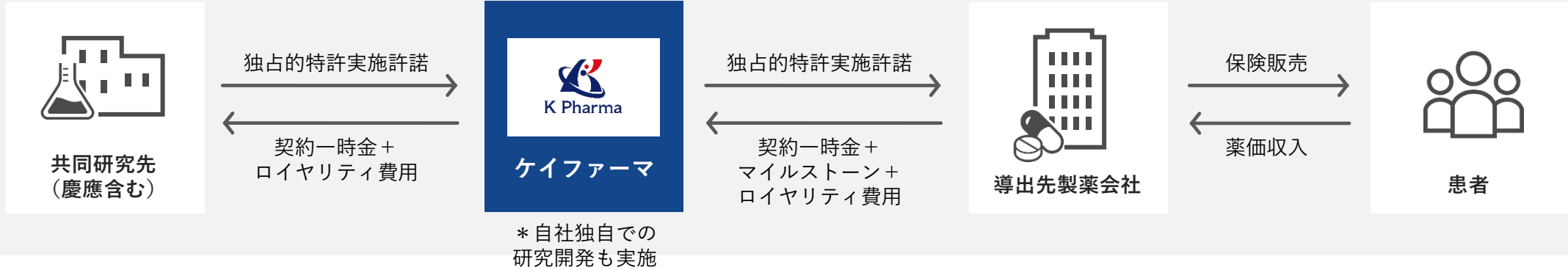
注) 早期承認プロセスの適用を受けるためには所定の要件を充足する必要がある



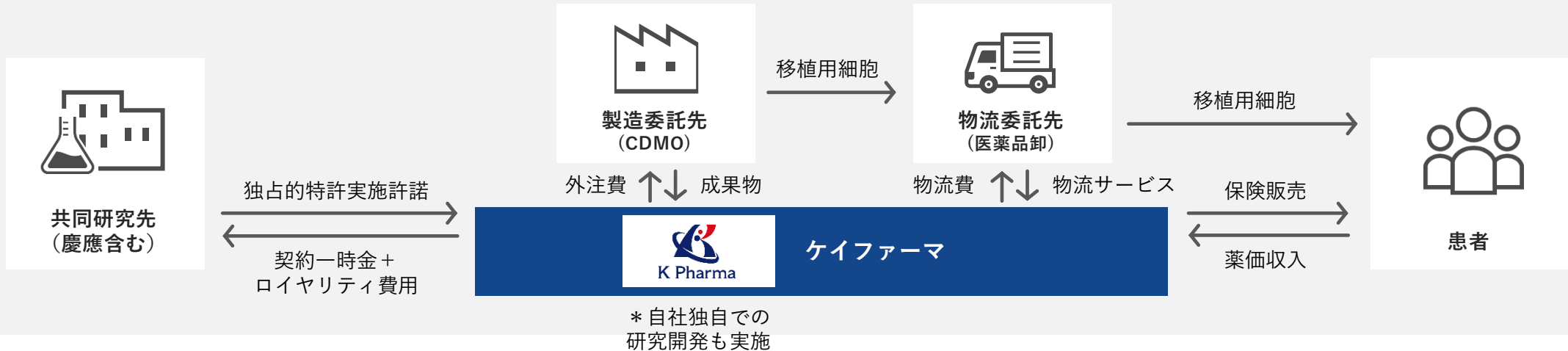
出典：再生・細胞医療・遺伝子治療の今後の方向性について
 2022年3月8日京都大学iPS細胞研究所所長 京都大学iPS細胞研究財団理事長 山中伸弥（自社改訂含む）

事業毎におけるビジネスモデルは以下の通り。

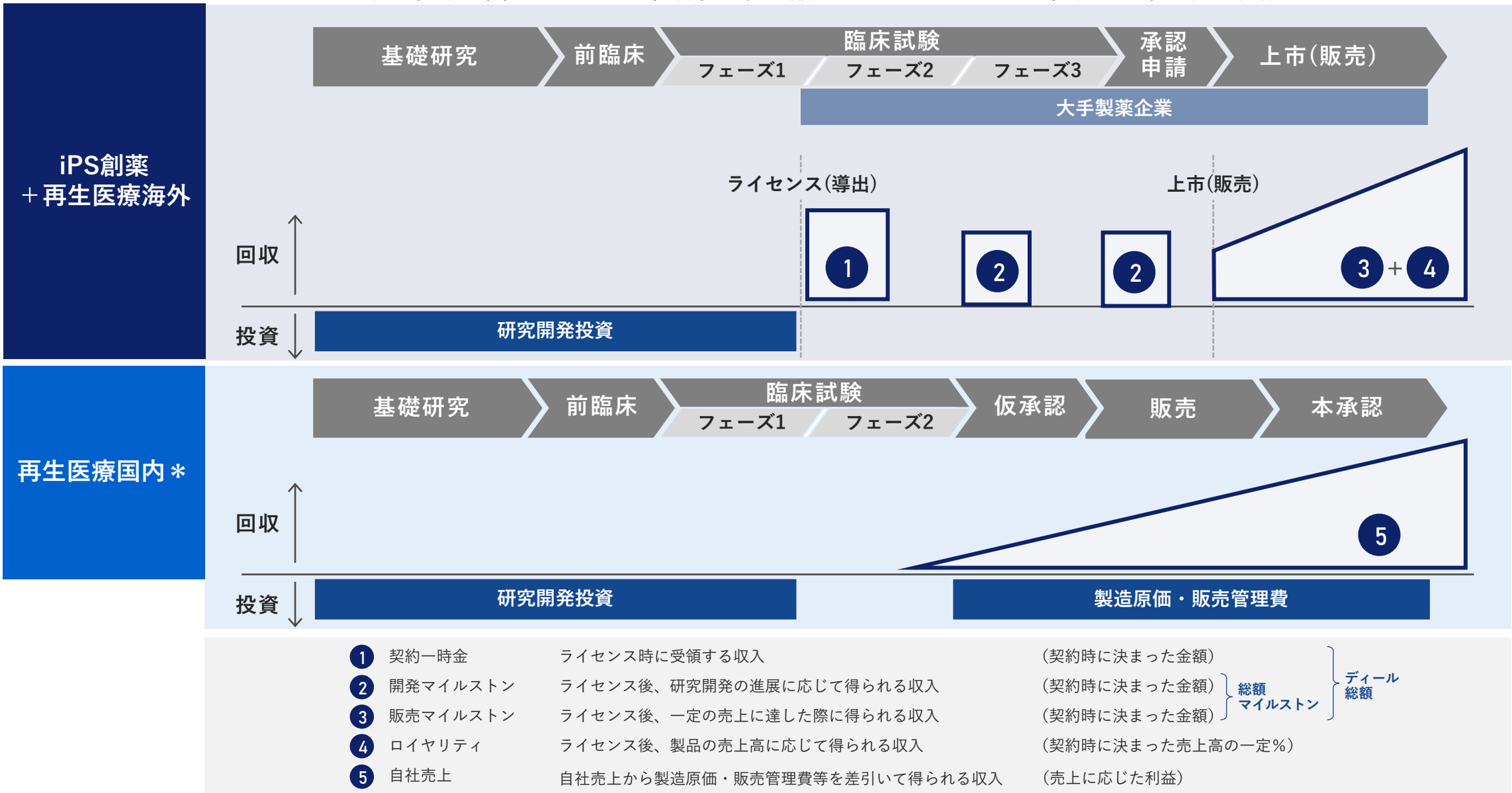
iPS創薬 + 再生医療(海外)



再生医療(国内)



iPS創薬事業及び再生医療海外については、導出先との提携により迅速かつ効率的に収益化を目指す一方、再生医療の国内については、自社で製造販売をコントロールして、収益の最大化を目指す



*再生医療国内の収益モデルにつきましては、今後の方針であり、確定したものではありません。

Index

01 会社概要

02 ハイライト

03 事業概要

04 // **パイプライン**

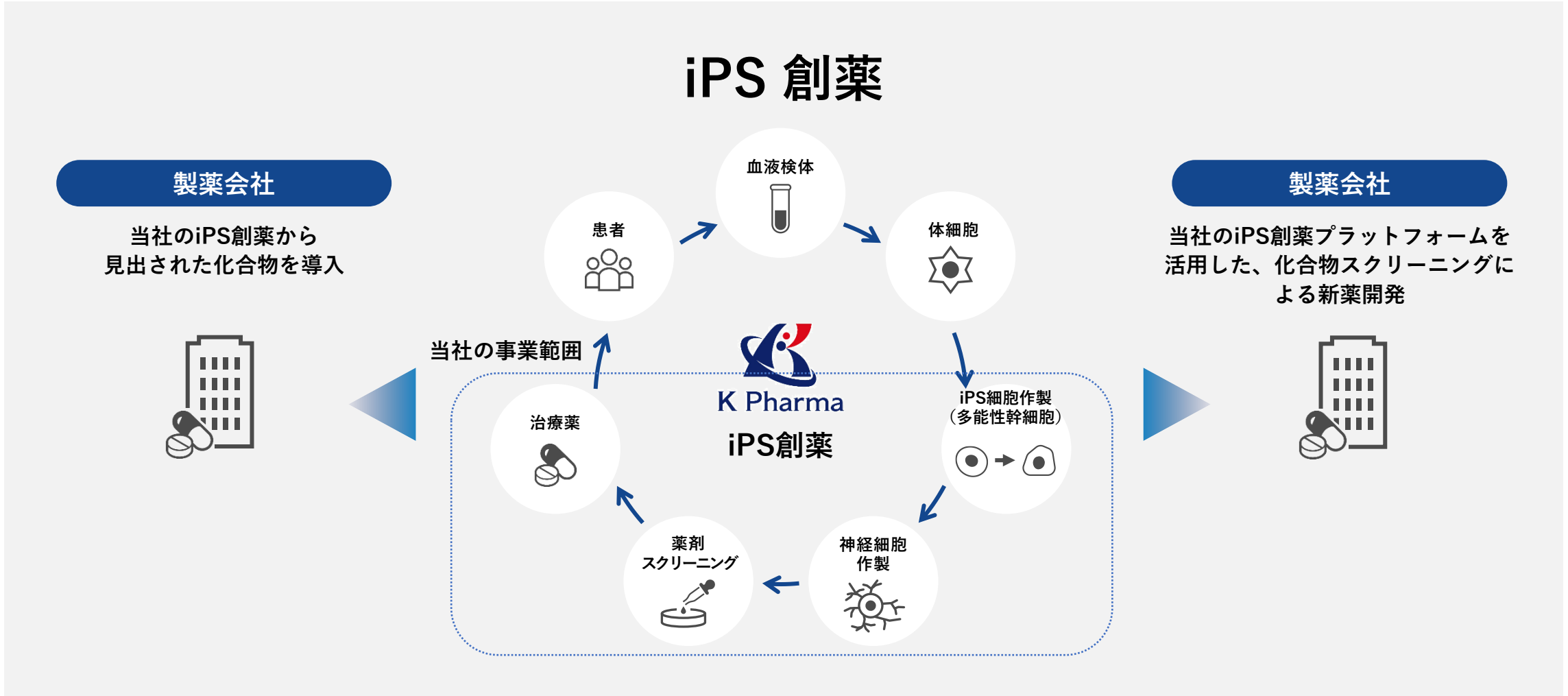
05 成長戦略

	開発内容	開発コード	基礎 / 探索研究	前臨床研究	第Ⅰ相試験	第Ⅱ相試験	第Ⅲ相試験	申請 / 承認	共同研究先 (提携先)	導出先	備考
iPS創薬事業	ALS (筋萎縮性側索硬化症)	KP2011							慶應義塾大学	アルフレッサファーマ(国内)	医師主導治験PhⅠ/Ⅱa終了、PhⅢ準備中
	FTD (前頭側頭型認知症)	KP2021							自社	未定	化合物スクリーニングを踏まえ、候補化合物選定、当局対応準備中
	HD (ハンチントン病)	KP2032							自社	未定	化合物スクリーニングを踏まえ、候補化合物選定、当局対応準備中
	FD (フェリチン症)	KP2041							自社	未定	化合物スクリーニングに向けた評価系構築中
	NHD (那須ハコラ病)	KP2051							自社	未定	化合物スクリーニングに向けた評価系構築中
	難聴	KP2061							北里大学	未定	特定化合物(特許取得済)に有効な疾患を拡大選定中
再生医療事業	亜急性期脊髄損傷	KP8011				*			慶應義塾大学	未定	慶應義塾大学にて医師主導臨床研究を実施中 * 臨床研究終了後の企業治験(PhⅠ/Ⅱ)に向けた準備中
	慢性期脊髄損傷	KP8021							自社	未定	移植細胞への遺伝子を導入検討、前臨床研究段階
	慢性期脳梗塞	KP8031							大阪医療センター	未定	前臨床研究段階
	慢性期脳出血	KP8041							大阪医療センター	未定	適応拡大に向け検討
	慢性期外傷性脳損傷	KP8051							大阪医療センター	未定	適応拡大に向け検討

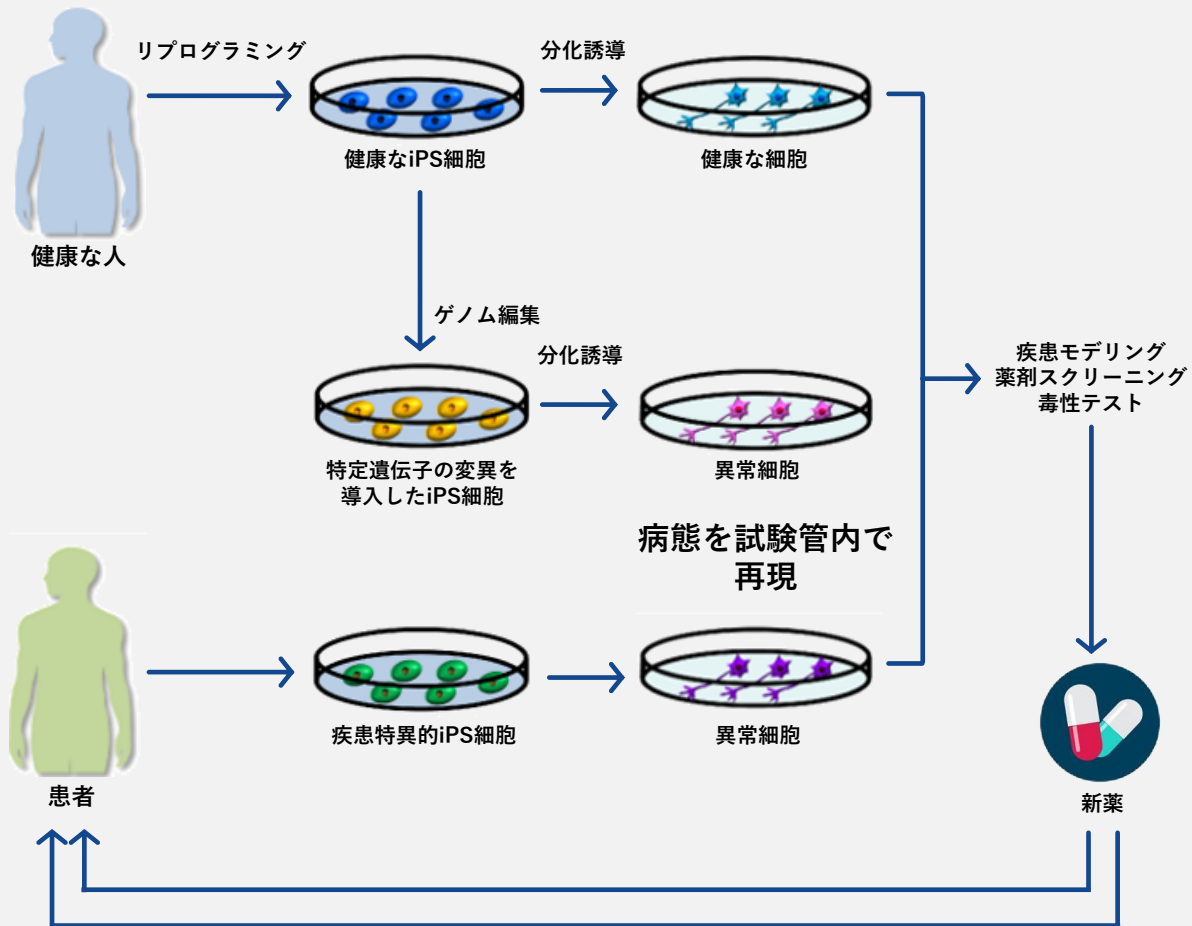


iPS創薬パイプライン

iPS創薬の手法は、疾患特異的iPS細胞を活用し化合物スクリーニングを行うことで、直接ヒト細胞での効果を確認できる。そのため、従来使用していた疾患動物モデルで評価することなく、直接臨床試験に進むことができるため、より短期間で創薬開発ができる（iPS創薬プラットフォーム）。アンメットメディカルニーズ*の疾患に対して効率的かつ合理的に創薬を進めていける可能性が高いと考える。
 *未だ有効な治療法が確立しておらず、患者からの要望が大きい疾患



iPS創薬のイメージ



出典：Okano Group established iPS cell lines from about 40 neurological Disorders. (J. of Neurochemistry, vol. 129, 2014, 388-399, Y. Imaizumi et al.)

これまでの創薬研究

- ① in vitro*での薬効評価
*試験管や培養器の中で人や動物の細胞を用いて、体内と同様の環境を人工的に作り、薬物の反応を検出するもの
- ② 任意の疾患動物モデルでの薬効確認
- ③ ヒトへの外挿

これまでのヒト臨床試験の成功確率は非常に低い*1

**iPS創薬研究は動物での薬効確認を行わず、
直接患者様の細胞で薬の有効性を確認できる
→成功確率を高める**

iPS創薬研究

- 患者様から頂いた血液細胞等からiPS細胞を樹立し、疾患特異的なin vitroスクリーニング系を作製、化合物ライブラリー*2から候補化合物を見出す方法を確立 (iPS創薬プラットフォーム)
*2特定の指標やターゲットとする疾患領域に基づいてデザインされた既に開発された化合物の集まり
- 表現系*3はヒト病態を反映したものであり、疾患動物モデルでの評価を介さず、臨床試験に進める可能性を示す、創薬研究の革命的手法を確立した
*3 薬剤の候補となる化合物を細胞等に加えることで対象とする疾患に関連して起きる現象

*1 出典：日本製薬工業協会 DATA BOOK 2023

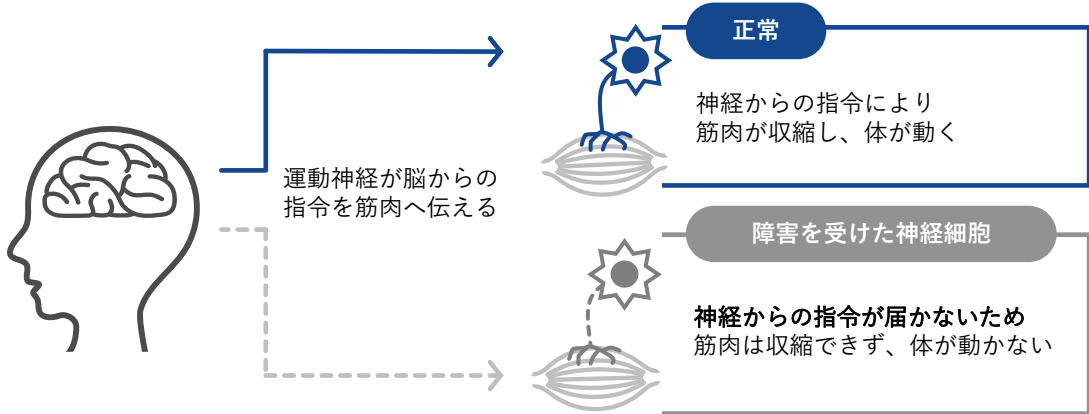
発症からの生存期間の中央値

20～48カ月

- ALSは、上部運動ニューロン（UMN）および下部運動ニューロンが障害され全身の筋肉が麻痺する疾患
- 立つ、歩く等の運動動作に加えて、話す、食べる等の基本的な日常動作が困難となる
- 発症数年の内に生命に必須の呼吸運動に障害が起こり、死に至る
- 原因はいまだ不明であり根本的な治療薬は無い
- 平均寿命は3～5年とされており、これを延命するための治療薬の開発が多くの機関で進められている

発症後年数	生存率
1年	約90%
10年	約10～20%

— 筋萎縮性側索硬化症（運動神経の変性） —



出典：Chio A, Logroscino G, Hardiman O, et al. Prognostic factors in ALS: a critical review. Amyotroph Lateral Scler. 2009; 10: 310-323

家族性から孤発性への展開（家族性のALSは患者数が少ないものの、遺伝的な要因が分かりやすく研究が進んでいるため、家族性のALSから研究を進め、患者数が多く家族性のALSともメカニズムが共通している孤発性のALSに展開）



家族性ALS患者由来iPS細胞：
FUS mutation ALS, TDP-43* mutation ALS

家族性（FUS mutation、TDP-43 mutation）ALS-iPS細胞を運動ニューロンへと分化誘導させ、ALS特異的な病態を解析、見出したALS特異的な表現型を評価項目とした既存薬スクリーニングを実施

* FUS, SOD 1, TDP-43, TARDBP等は家族性ALSの原因遺伝子を指す



孤発性ALS患者由来のiPS細胞：
Sporadic ALS

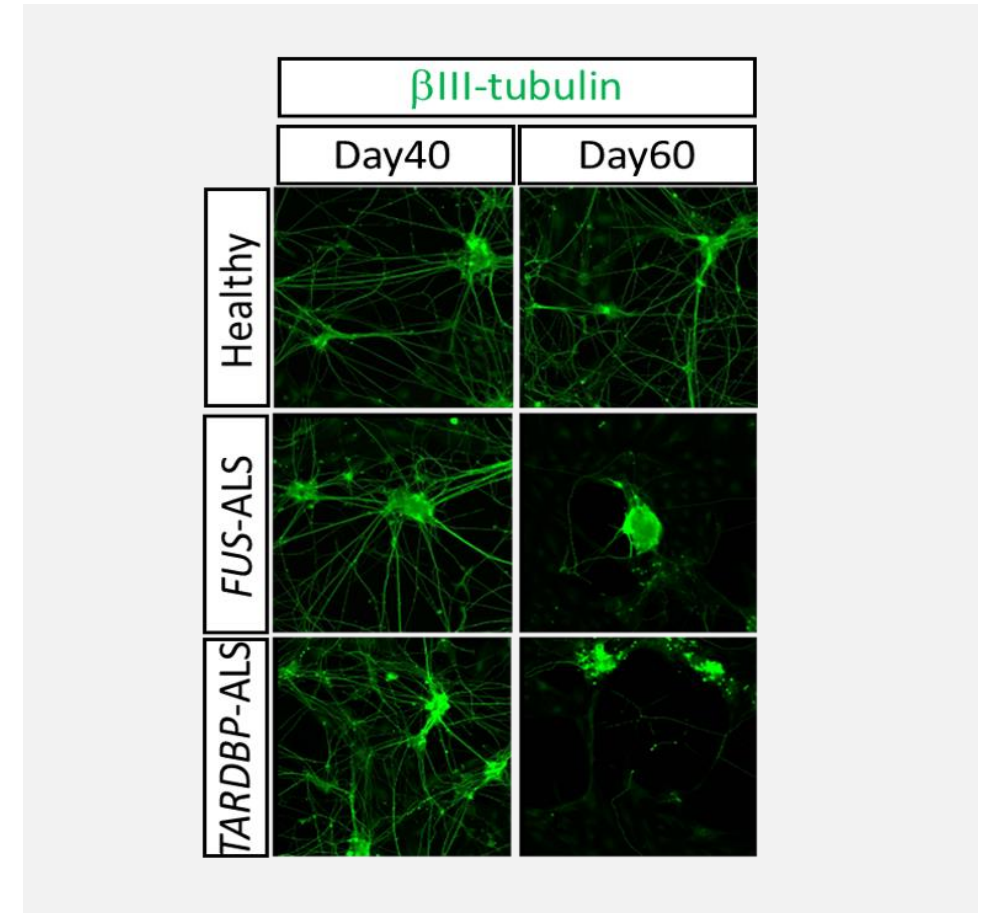
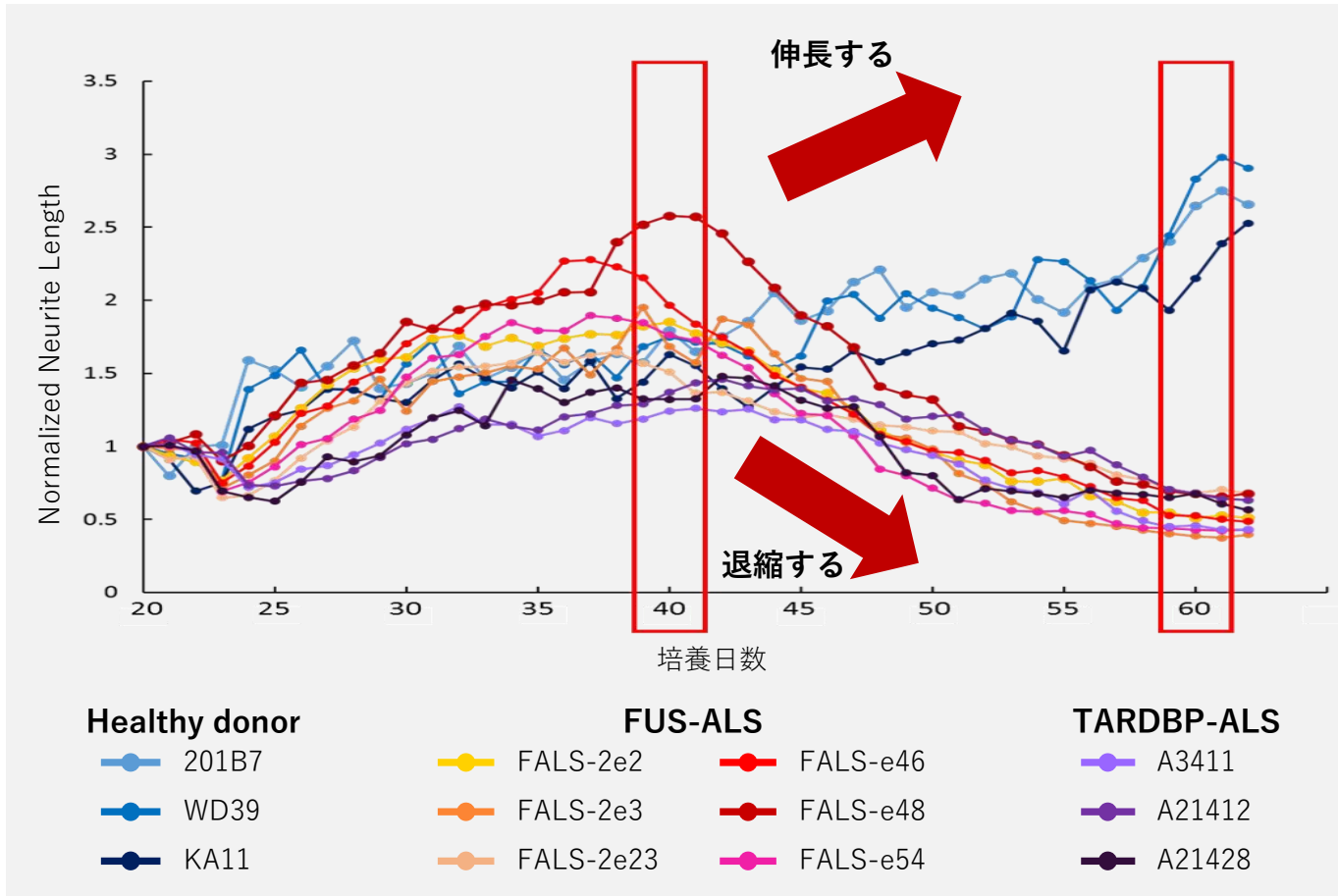
見出した候補化合物が孤発性ALS患者に有効か、孤発性ALS患者由来のiPS細胞から誘導した運動ニューロンに対して、ALS特異的な表現型（左記）を用いて確認（特に神経疾患では、孤発性が90%程度であることから、被験者の割合や適用対象、ひいては売上額に大きな影響が出る重要な試験）

【iPS細胞由来運動ニューロンを用いた加齢に伴うin vitroにおける神経突起長解析】

健常人の運動ニューロン → 神経突起長が伸長し続け、その後一定期間安定に維持

家族性ALS患者の運動ニューロン → 40日前後をピークに伸長が停止し、退縮に転じる変異点を確認。60日目には神経突起が大幅に減少している状況

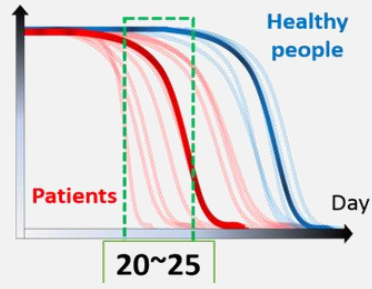

ヒトでは数十年かかる潜在的で緩徐な神経変性疾患の発症プログラムが、患者様の細胞から樹立したiPS細胞を活用することで数ヶ月に圧縮されて再現。






- FUS* -ALS iPSC
→ 運動ニューロン
- TDP43* -ALS iPSC
→ 運動ニューロン

経時的な神経突起長解析

一定の安全性が確立している
既存薬スクリーニング
(Drug Repositioning)

多角的なエンドポイント
による薬効評価

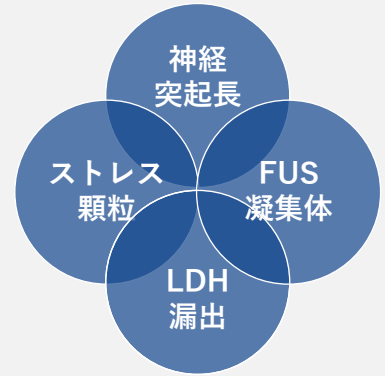
- 神経突起長
- ストレス顆粒
- 疾患特異的タンパク凝集
- LDH漏出
- アポトーシス誘導



有効な治療薬候補を
高精度に抽出


< 既存薬ライブラリーのスクリーニング >

FUS-ALS 95 / 1232



▼

TDP43-ALS 9 / 95

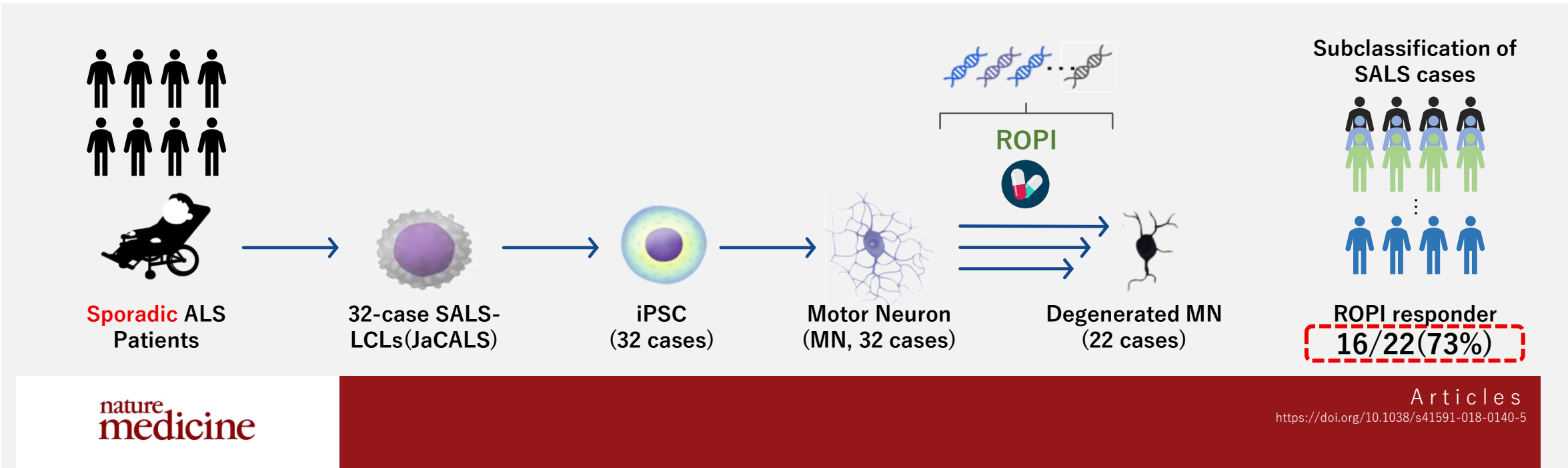


注) 分母: 化合物ライブラリーの化合物総数
分子: スクリーニング後に抽出した化合物数

出典: Nature Medicine, vol. 24, 2018, 1579-1589, K. Fujimori, et al.

【孤発性ALS細胞でのロピニロールの薬効評価】

ロピニロールが、孤発性ALS患者由来のiPS細胞株にも有効性を示すかを確認。その結果、孤発性ALS患者由来iPS細胞から分化誘導した神経細胞の約73%に有効。



Modeling sporadic ALS in iPSC-derived motor neurons identifies a potential therapeutic agent

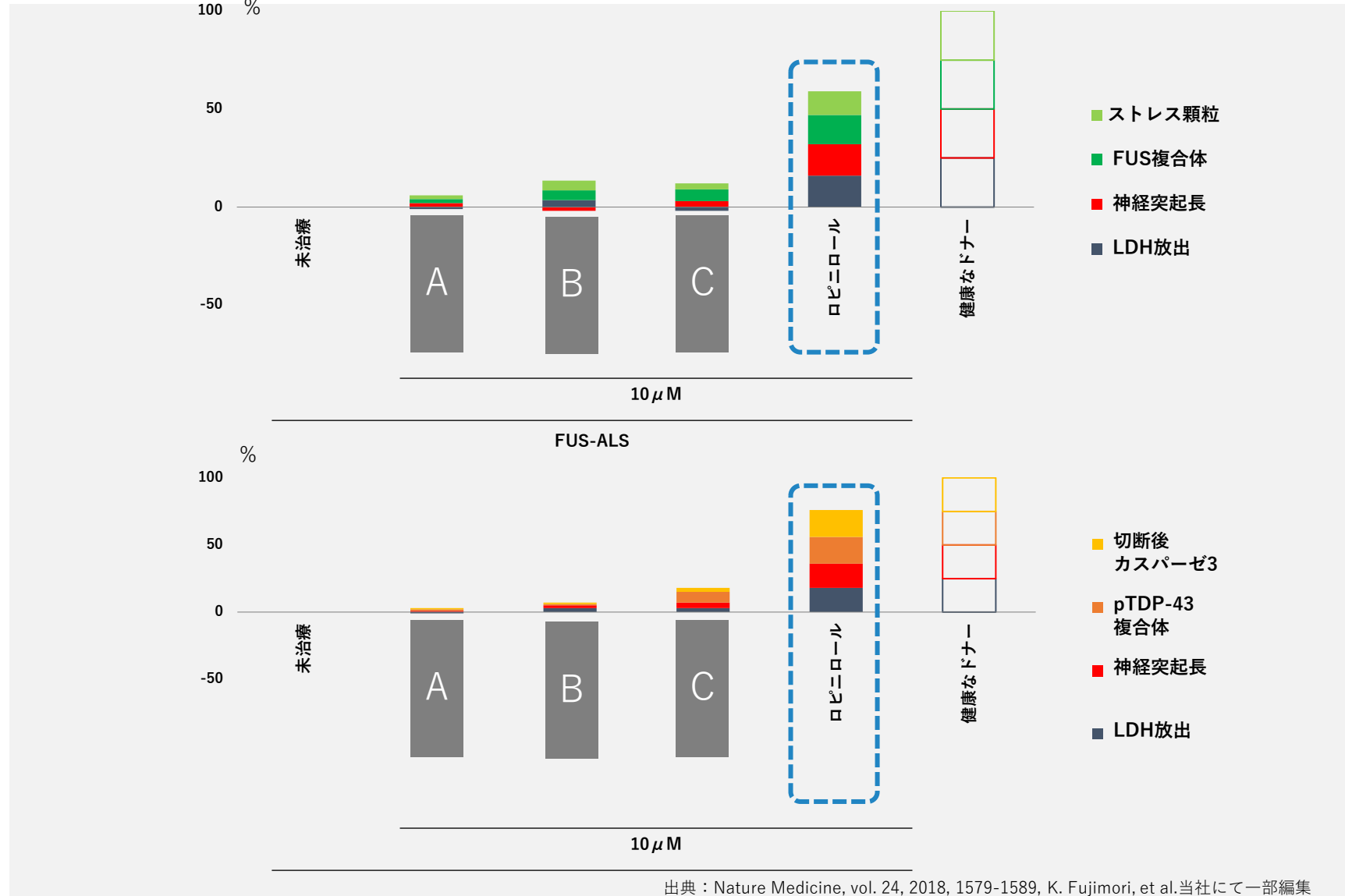
Koki Fujimori¹, Mitsuru Ishikawa¹, Asako Otomo^{2,3,4}, Naoki Atsuta⁵, Ryoichi Nakamura⁵, Tetsuya Akiyama⁶, Shinji Hadano^{2,3,7}, Masashi Aoki⁶, Hideyuki Saya⁸, Gen Sobue^{5,9} and Hideyuki Okano¹

Amotrophic lateral sclerosis (ALS) is a heterogeneous motor neuron disease for which no effective treatment is available, despite decades of research into SOD1-mutant familial ALS (FALS). The majority of ALS patients have no familial history, making the modeling of sporadic ALS (SALS) essential to the development of ALS therapeutics. However, as mutations underlying ALS pathogenesis have not yet been identified, it remains difficult to establish useful models of SALS. Using induced pluripotent stem cell (iPSC) technology to generate stem and differentiated cells retaining the patients' full genetic information, we have established a large number of in vitro cellular models of SALS. These models showed phenotypic differences in their pattern of neuronal degeneration, types of abnormal protein aggregates, cell death mechanisms, and onset and progression of these phenotypes in vitro among cases. We therefore developed a system for case clustering capable of subdividing these heterogeneous SALS models by their in vitro characteristics. We further evaluated multiple-phenotype rescue of these subclassified SALS models using agents selected from non-SOD1 FALS models, and identified ropinirole as a potential therapeutic candidate. Integration of the datasets acquired in this study permitted the visualization of molecular pathologies shared across a wide range of SALS models.

Nature Medicine | VOL24 | OCTOBER 2018 | 1579-1589

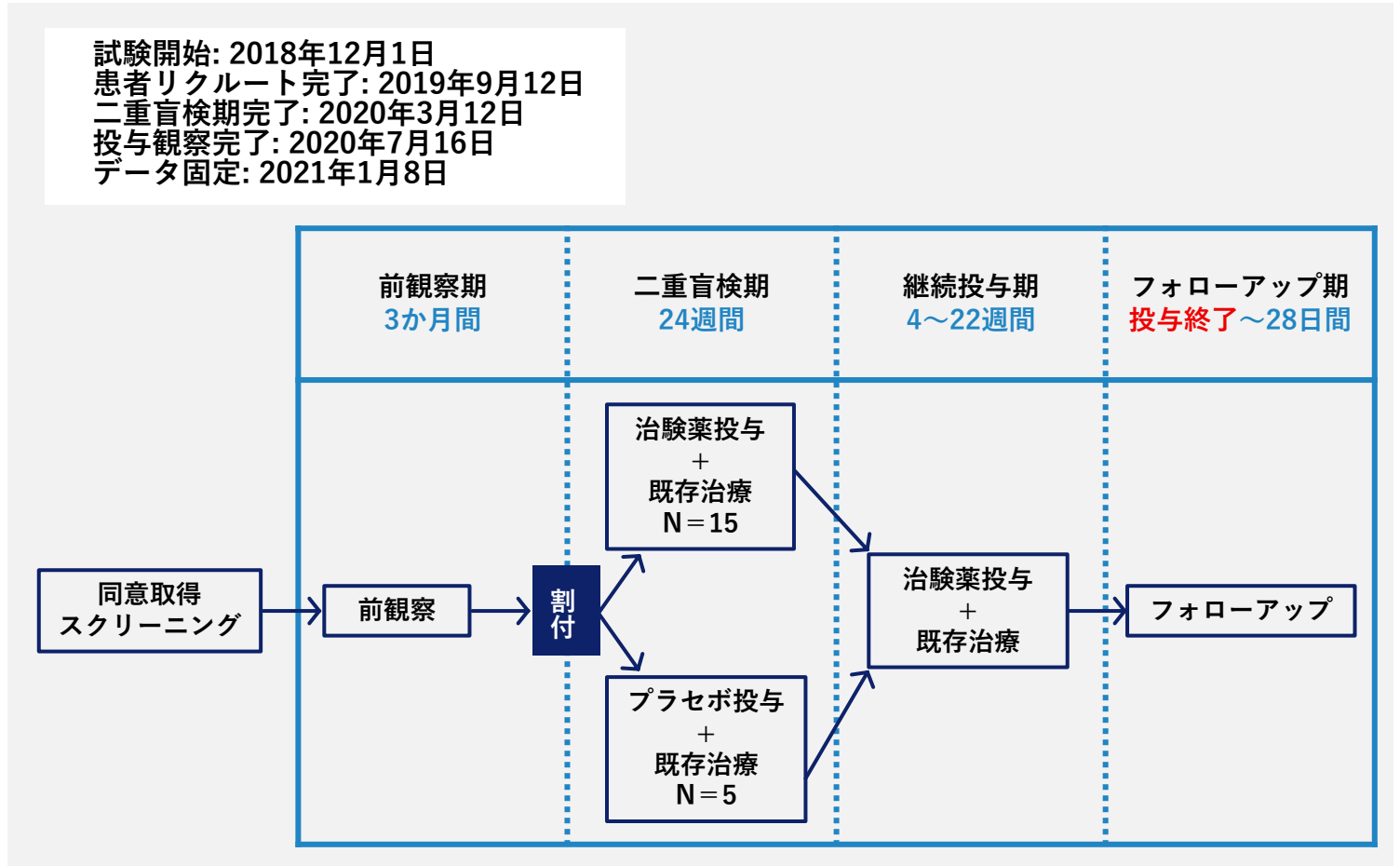
ロピニロールは、本パイプラインの開発で使用した表現型に関する薬効比較において、既存薬を上回る優位な改善効果を示している。

＜ロピニロールと既存薬の薬効比較＞ 当社が構築した表現型を各25%とした場合の薬効比較



第 I / II a 相試験の概要

試験概要	
試験タイトル	筋萎縮性側索硬化症(ALS)患者を対象としたロピニロール塩酸塩徐放錠内服投与による第 I / II a 相試験
UMIN試験ID	UMIN000034954
対象疾患	筋萎縮性側索硬化症(ALS)
被験薬・投与量	ロピニロール塩酸塩徐放錠2mgを1日1回より開始し、1週毎に目標維持量16mgまで増量する
試験期間	2018年12月～2021年3月
試験実施施設	慶應義塾大学病院
症例数	20症例のうち13症例にロピニロール、7症例にプラセボ
主要評価項目	安全性および忍容性
副次評価項目	有効性



出典：慶應義塾大学病院、慶應義塾大学医学部、株式会社ケイファーマ「神経難病における iPS 細胞創薬に基づいた医師主導治験を完了 - 筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療の世界に新たな扉を開く -」

出典：Morimoto S, et al., Cell Stem Cell. 2023 Feb 2;30(2):171-187、Morimoto S, et al. Regenerative Therapy, 2019

第 I / II a 相試験の結果

ALS患者での薬の有害事象

	二重盲検期				継続投与期			
	ロピニロール N=13		プラセボ (偽薬) N=7		ロピニロール N=12		プラセボ (偽薬) N=5	
	Event N	Case (%)	Event N	Case (%)	Event N	Case (%)	Event N	Case (%)
全有害事象	50	12 (92.3)	14	6 (85.7)	34	11 (91.7)	32	4 (80.0)
程度別								
軽度	49	11 (84.6)	13	5 (71.4)	34	11 (91.7)	29	3 (60.0)
中等度	1	1 (7.7)	0	0	0	0	2	0
重度	0	0	1	1 (14.3)	0	0	1	1 (20.0)

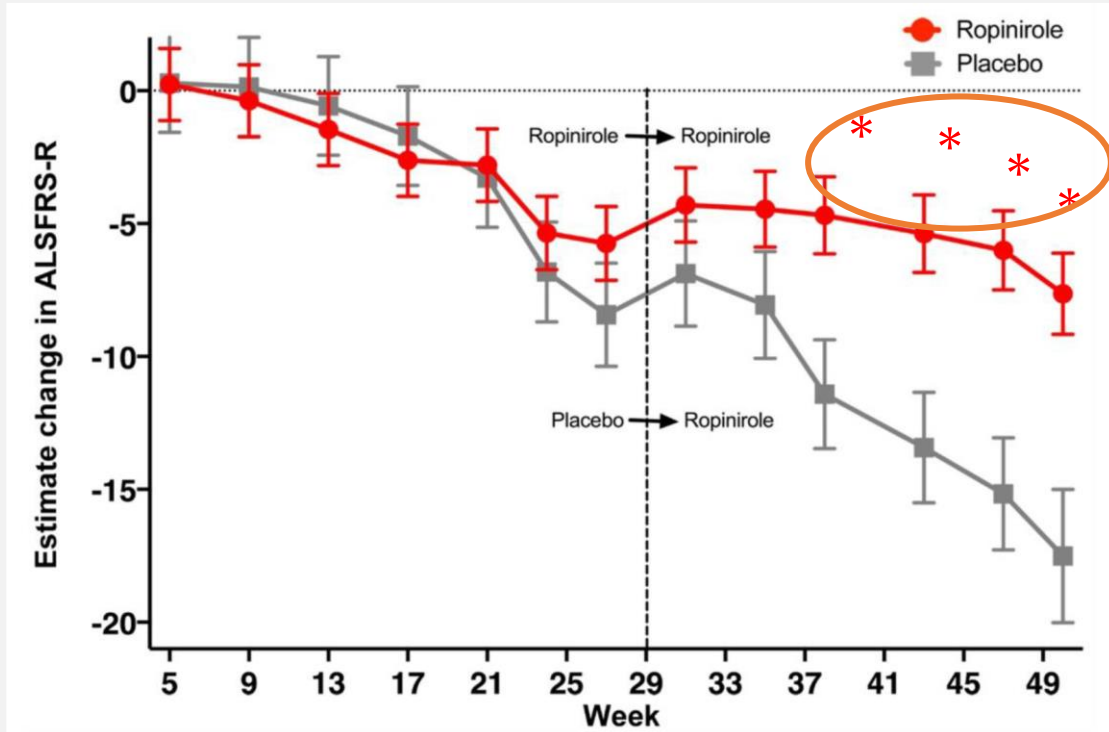
- ALS患者に対し、16mg/日のロピニロール塩酸塩の内服は、有害事象の観点からも十分安全かつ忍容可能であった。
(有害事象のほとんどが軽度なものであり、有害事象による試験脱落は認めない)
- 有害事象の発生率は、ロピニロール群、プラセボ群共に類似しており、それらのほとんどは既知の有害事象であった。

ALS患者に対して、ロピニロール塩酸塩 (16mg /日) は安全に投与可能であることが示された

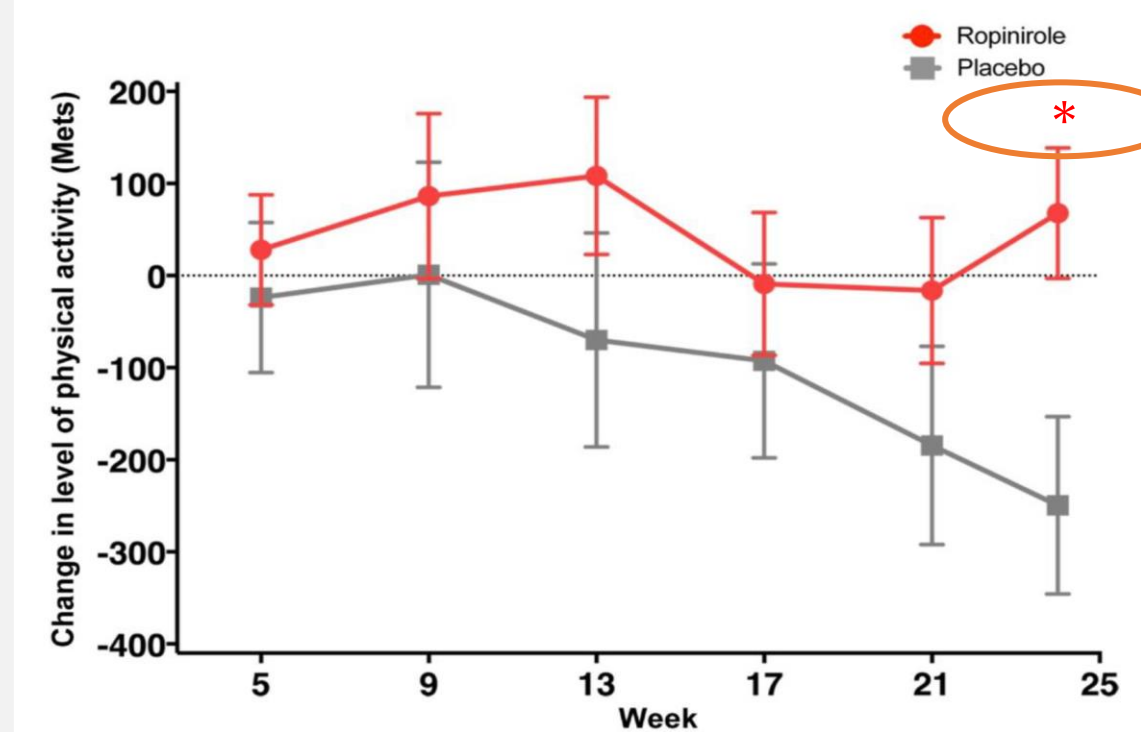
第 I / II a 相試験の結果

ALS患者での有効性

ALSの総合機能評価



ALS患者の日常活動量

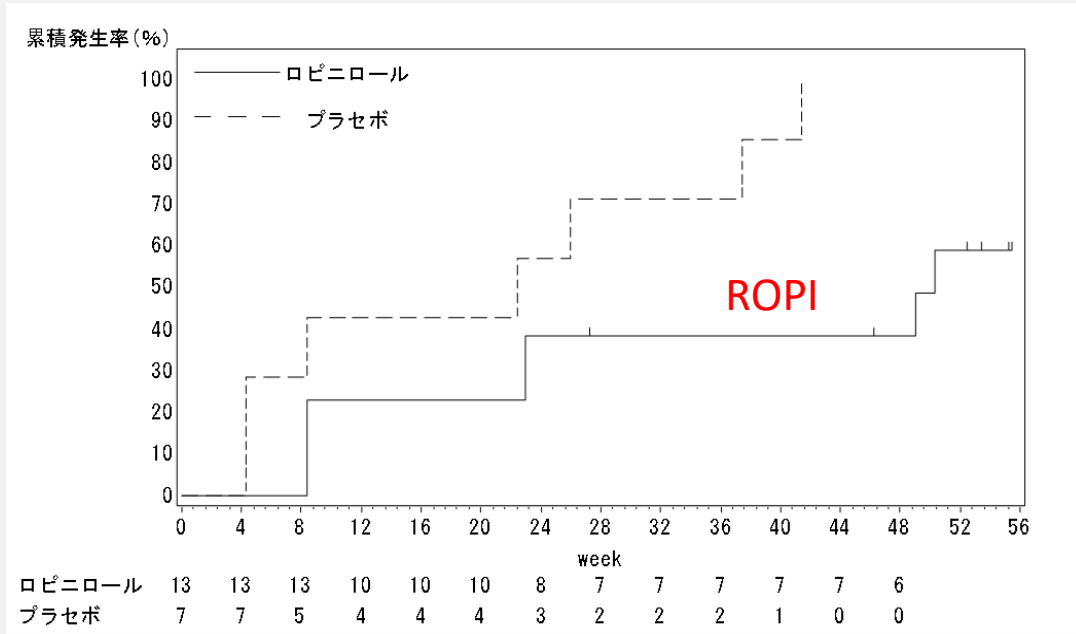


- 有効性についても、ロピニロール塩酸塩の実薬群とプラセボ群との間で1年間の全投与期間において、実薬群がプラセボ群と比較してALS患者の総合機能評価や日常活動量の低下を抑制して、統計的に一定の有効性があることが示唆された。

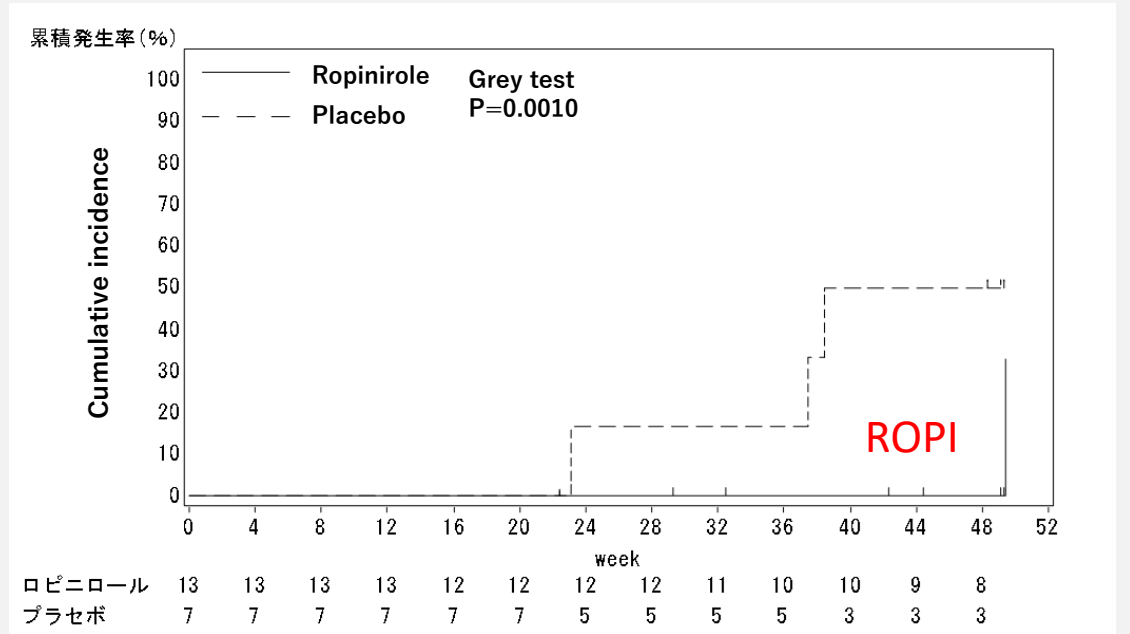
ロピニロール塩酸塩はALS患者の全般機能および活動量の低下を有意に抑制

第 I / II a 相試験の結果

死亡または一定の病態進展までの期間



呼吸不全進行までの期間



- ロピニロール塩酸塩の実薬群とプラセボ群との間で病状の進展について、中央生存（病態進展）期間を1年間で195日延長した

患者様の病気の進行を抑制する可能性を示した

医師主導治験Ph I / II a試験において安全性、忍容性、有効性を確認。
国内外の学会での発表や「Cell Stem Cell」 (Morimoto et al., 2023, Cell Stem Cell 30, 766–780 June 1, 2023) 掲載。

01

ALS患者に対するロピニロールの
安全性と忍容性を確認
(全被験者で16mg/day)

02

1年間の治験期間で、病気の進行を
27.9週間 (約7か月) 遅らせる
可能性

03

最初の6ヶ月の間に複数の筋肉における
筋力低下や活動量の低下が
有意に抑制された

2023.3 アルフレッサファーマとの契約詳細

契約名	ロピニロール塩酸塩を活用したALS治療薬の開発権・製造販売権許諾契約
契約先	アルフレッサファーマ株式会社／大阪府中央区／代表取締役社長 島田浩一／アルフレッサホールディングス(2784)の完全子会社
契約締結日	2023年3月1日
主な契約内容	① アルフレッサファーマは国内におけるロピニロール塩酸塩を活用したALS治療薬の開発・製造販売する権利を取得 ② ケイファーマは契約一時金や開発の進捗に応じたマイルストーンペイメント、 ならびに売上に応じたロイヤリティを受領



2023.3

アルフレッサファーマとの国内開発権・製造権 許諾契約



2020年代中盤

Ph3開始* (目標)
*フェーズ3臨床治験の開始



2020年代後半

Ph3終了・新薬承認申請* (目標)
*フェーズ3臨床治験の終了後、
新薬としての製造販売承認を
厚生労働省に申請



2020年代後半

販売開始* (目標)
*製造販売が承認されて、
臨床現場での使用開始

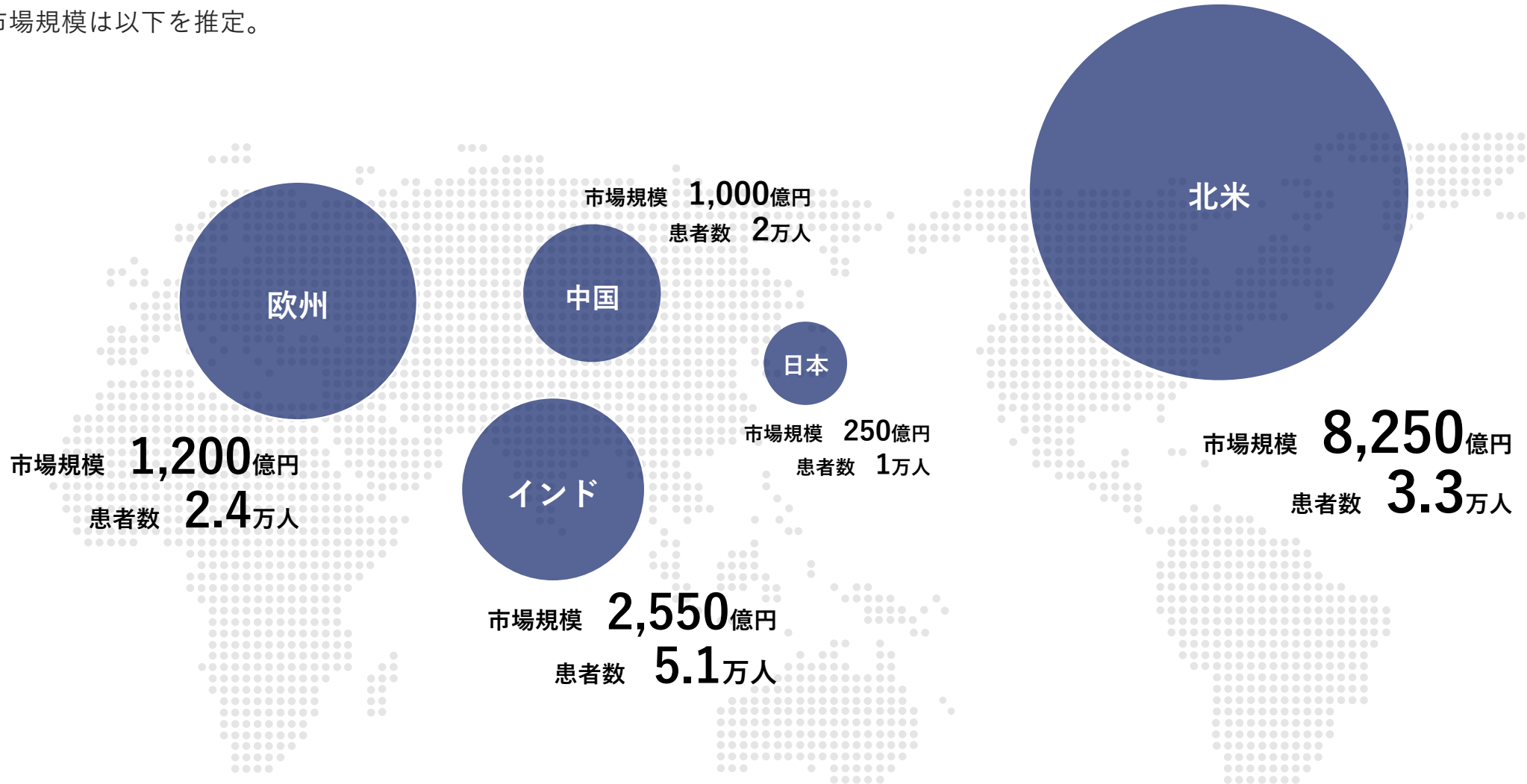
注) 開発の状況や治験の進捗等により、上記の想定通り進む保証はないもの

各神経変性疾患が示す病態については一部共通した疾患メカニズムがあることから、当社では「Rare to Common戦略」を推進。
大手製薬会社では費用対効果の観点で希少疾患の研究の優先度が低くなる傾向にあるが、当社は希少疾患の基礎研究を進めるアカデミアとの連携体制を活用することで希少疾患の創薬開発に取り組むことができる



患者数が比較的少ない難治性疾患の創薬開発から、
患者数の多い疾患の創薬開発を目指す

ALSの市場規模は以下を推定。



カナダ・日本・欧州（特許取得済）、米国・中国・インド（特許申請中）について、
国内外の製薬会社とのアライアンス契約交渉を実施中

市場規模は以下を推定。

<HD（ハンチントン病） 北米>

3,150 億円



患者数 3.3万人

出典：患者数：疾病対策予防センター（Centers for Disease Control and Prevention: CDC）HP

<FTD（前頭側頭型認知症） 国内>

300 億円



患者数 1.2万人

出典：患者数：難病情報センターHP

<難聴 国内>

6 兆円



患者数 1,200万人

出典：患者数：一般社団法人 日本補聴器工業会 JapanTrak 2022 調査報告

<アルツハイマー病 国内>

8 兆円



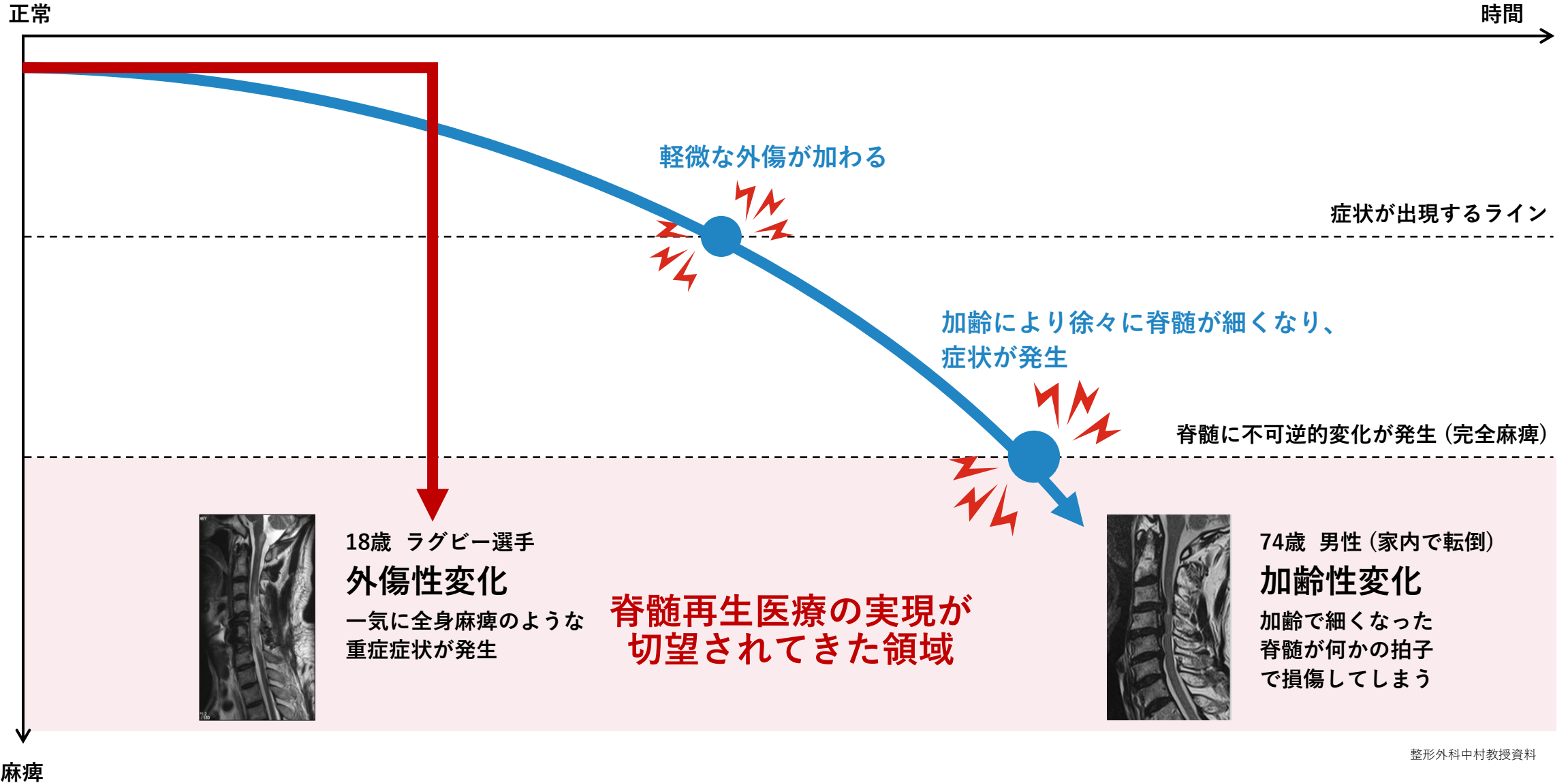
患者数 400万人

出典：患者数：令和元年 6 月 20 日 厚生労働省老健局 社会保障審議会 介護保険部会（第 78 回）
認知症施策の総合的な推進について



再生医療パイプライン

これまでは脊髄損傷により完全麻痺となった場合に有効な治療法がなかった



<他治療法との比較>

- 脊髄損傷に対する治療法の開発は国内外で行われているが、未だ有効な治療方法はなく、他家iPS細胞由来の神経前駆細胞移植に対する期待は大きい。

			対象の時期	開発段階	進捗状況
栄養因子 (肝細胞刺激因子: HGF)			急性期	Ph3 進行中	臨床での有効性傾向あり
軸索伸長阻害 (Semaphorin 3A, Chondroitinase-ABC)			慢性期	前臨床	臨床での有効性は未確認
抗IL-6R抗体			急性期	前臨床	臨床での有効性は未確認
HAL (サイボーグロボット)			慢性期	申請準備中	将来的に細胞移植との併用を想定
細胞移植治療	自家移植	骨髄間葉系幹細胞※	急性期、亜急性期	2018年12月製造承認	ステミラック (ニプロ社)、脊髄損傷受傷後31日以内
		脂肪細胞	慢性期	臨床試験 (国外)	臨床での有効性は未確認
		嗅粘膜細胞	慢性期	臨床試験 (国外)	臨床での有効性は未確認
	他家移植	Muse細胞	慢性期	臨床Ph1/2 →中断	開発中止発表 (2023/4)
		臍帯血	慢性期	臨床試験 (国外)	臨床での有効性は未確認
		胎児由来神経幹細胞	慢性期	Ph1/2 (米国)	米国Neuralstem社
		ES細胞	亜急性期	臨床試験中止 (国内)	当局から臨床試験中止連絡あり
			慢性期	Ph2 (米国)	臨床での有効性は未確認 (オリゴデンドロサイト前駆細胞/Asterias Biotherapeutics, Inc.)
				iPS細胞を活用した神経前駆細胞	亜急性期

当社が取組む領域 ←

※ 当社独自に作成 2023.6時点

※ 間葉系幹細胞とは、体内に元々存在する幹細胞の一つであり、全ての細胞に分化可能なiPS細胞と異なり、特定の骨や血管、神経組織等に分化できる能力を持つとされる細胞

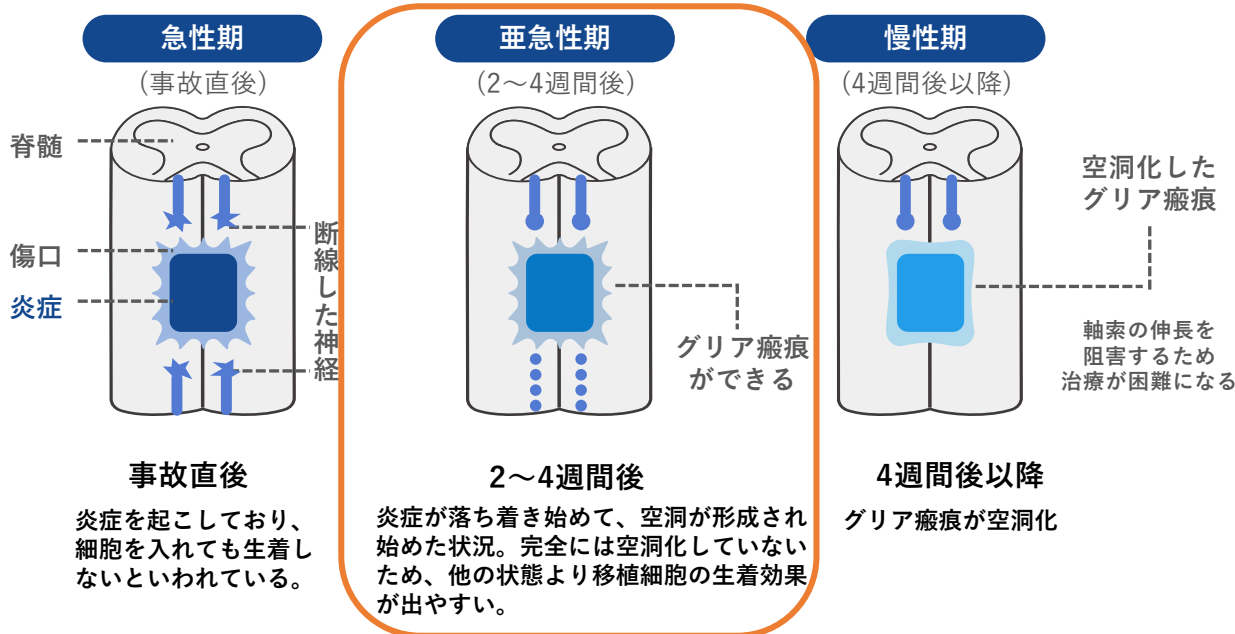
当社が目指す亜急性期脊髄損傷に対する治療法は以下の通り。

希少疾患の治療法確立を目指す

脊髄損傷とは

- 背骨の中央を通る神経の束である脊髄が交通事故やスポーツ等でダメージを受け、神経線維の束が切断されると発症
- 四肢や臓器の運動麻痺や感覚麻痺や動かせないはずの筋肉の痙攣が起こる
- 事故直後を急性期、2～4週間後を亜急性期、4週間以降を慢性期脊髄損傷と呼ぶ

当社が目指す脊髄損傷の治療



ケイファーマの治療法の特長

比較的少ない細胞量を移植

- 腫瘍化リスクが極めて低い
- 移植細胞の製造量が比較的小さいため、品質を安定させやすい
- 将来的には製造コスト面でのメリットが受けやすい

効果の発揮

- 有効性が高い最適なiPS細胞、最適な分化誘導法の開発研究の実施
- 既存の神経に対して保護作用が働く
- 細胞を移植することで神経回路を再構築

Notchシグナル*の阻害剤を使用

*進化上保存された発生過程や幹細胞における細胞運命決定を調節する経路

- 慶應大学から関連特許の独占的实施許諾を受けている
- 腫瘍化リスクの回避
- 神経の軸索伸長を促進

一般的な治療法

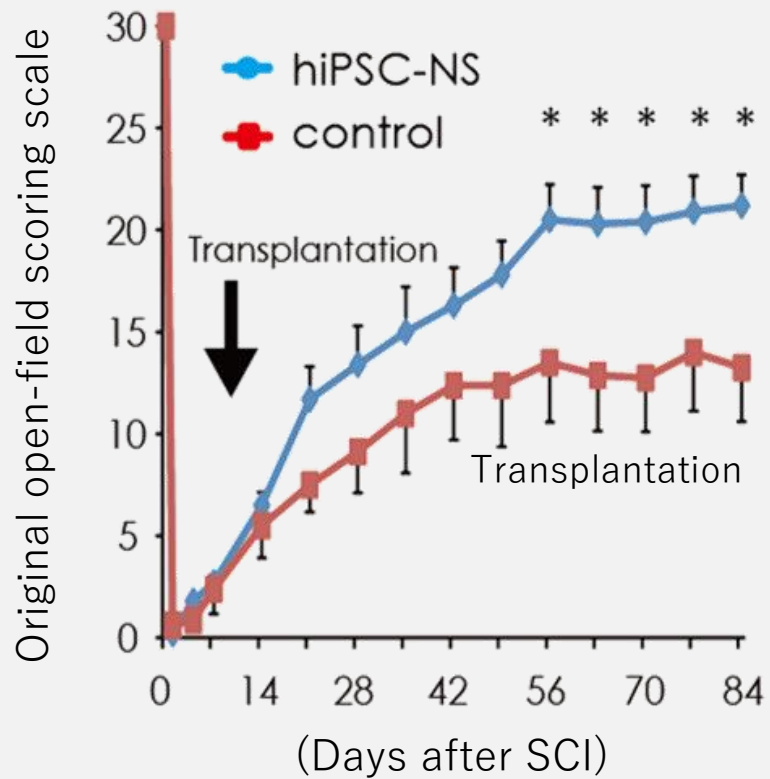
- 損傷直後の急性期にはステロイド大量療法が取られるが、副作用のリスクや治療効果の低さから行われなくなってきている
- 自家の骨髄由来間葉系幹細胞を用いたニプロのステミラックが2018年12月に条件付き承認で上市された

出典：全国脊髄損傷データベース 2020年度

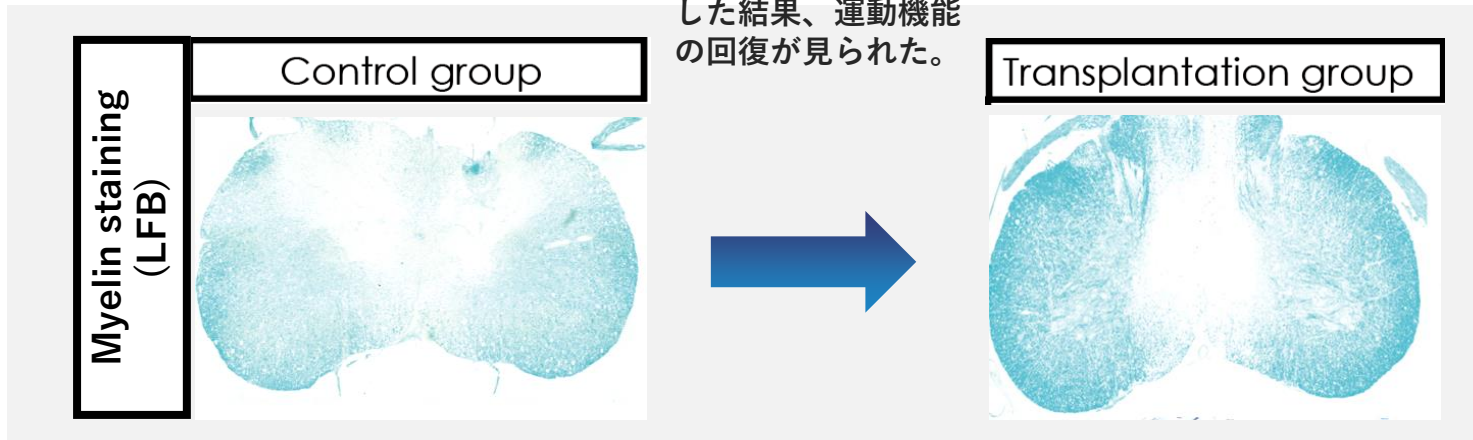
マーモセット脊髄損傷モデルを用いた機能回復の確認

ヒトのiPS由来の神経前駆細胞を人為的に脊髄損傷の状態としているマーモセットの脊髄損傷箇所に移植した結果、損傷箇所に着実に生着した上で、行動評価においても、移植を行わなかった個体と比較して機能回復が見られた

移植した個体と移植していない個体との運動機能の回復比較

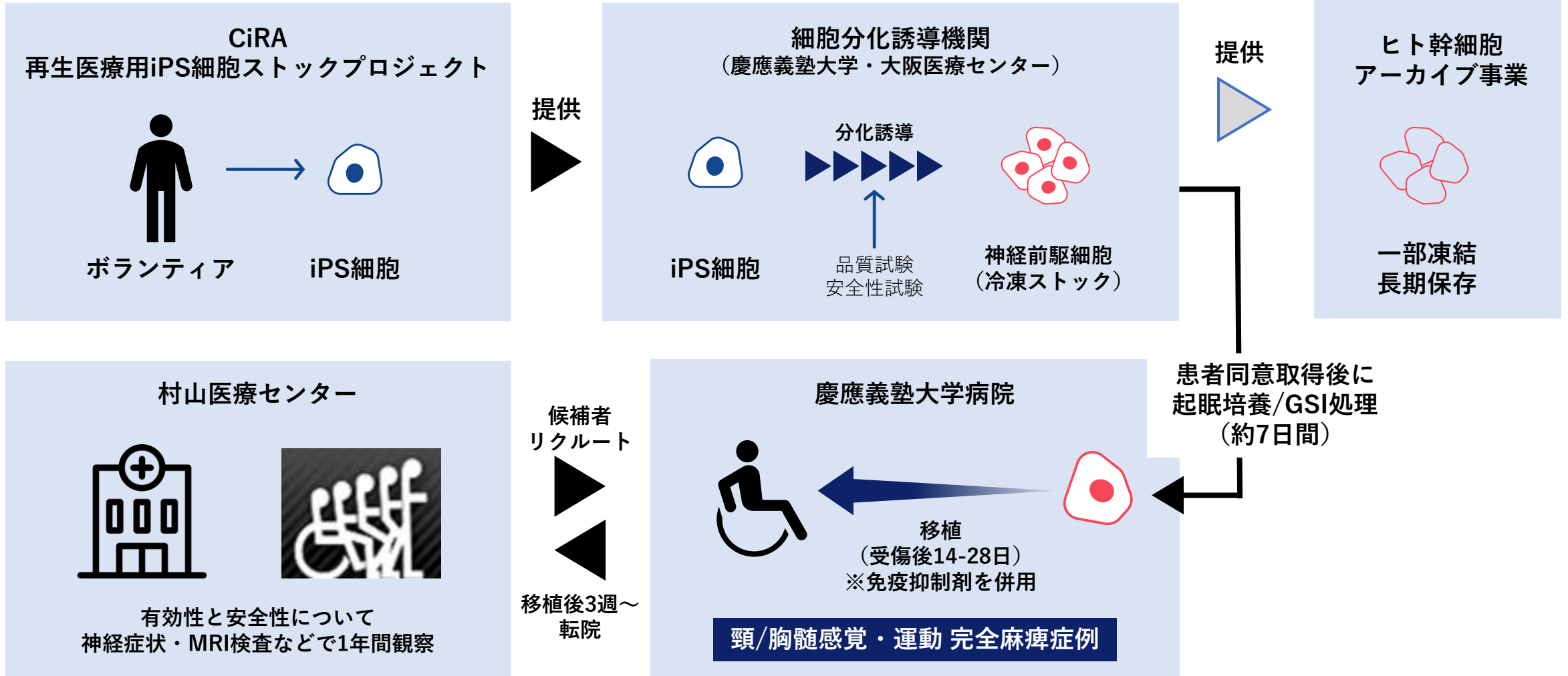


損傷部位に細胞が生着して機能を補充した結果、運動機能の回復が見られた。



出典：Kobayashi et al., PLoS ONE, 2012

iPS細胞を神経前駆細胞に分化誘導したうえで、慶應義塾大学病院で亜急性期の脊髄損傷患者様に移植して、移植後村山医療センターにて経過を観察する



慶應義塾大学 岡野教授、中村教授らのグループが世界で初めてiPS細胞を用いた脊髄損傷患者を対象とする再生医療の医師主導臨床研究を慶應義塾大学において実施中。

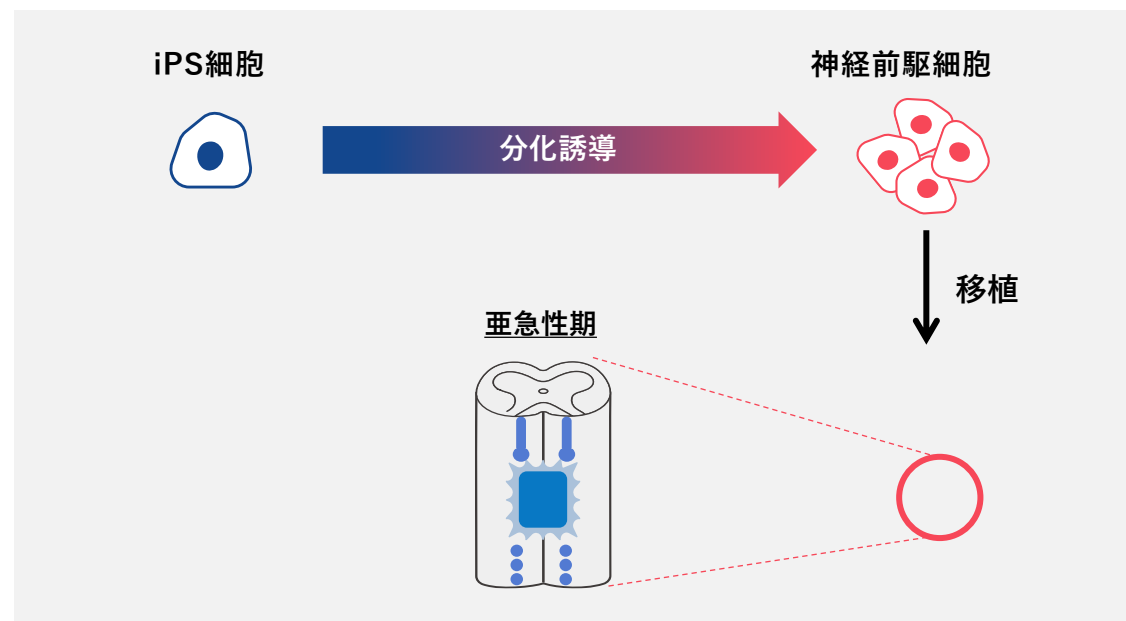
2021年12月の1例目については、本臨床研究のために設置された独立データモニタリング委員会により安全性が評価されており、その後の試験も順調に推移。

試験概要

試験タイトル	亜急性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療
UMIN試験ID	UMIN000035074
対象疾患	発症から2~4週間の亜急性期完全脊髄損傷
被験薬・投与量	ヒトiPS細胞由来の神経前駆細胞約200万個を損傷脊髄の中心部に移植
試験期間	2021年12月の移植手術から1年間
試験実施施設	慶應義塾大学病院・村山医療センター
症例数	最大4症例を実施
主要評価項目	安全性(細胞移植から1年間の観察期間終了までに新たに発生した有害事象の重症度、頻度等)、有効性(移植による治療の効果の高さ)



< iPS細胞を使う脊髄損傷の治療のイメージ >

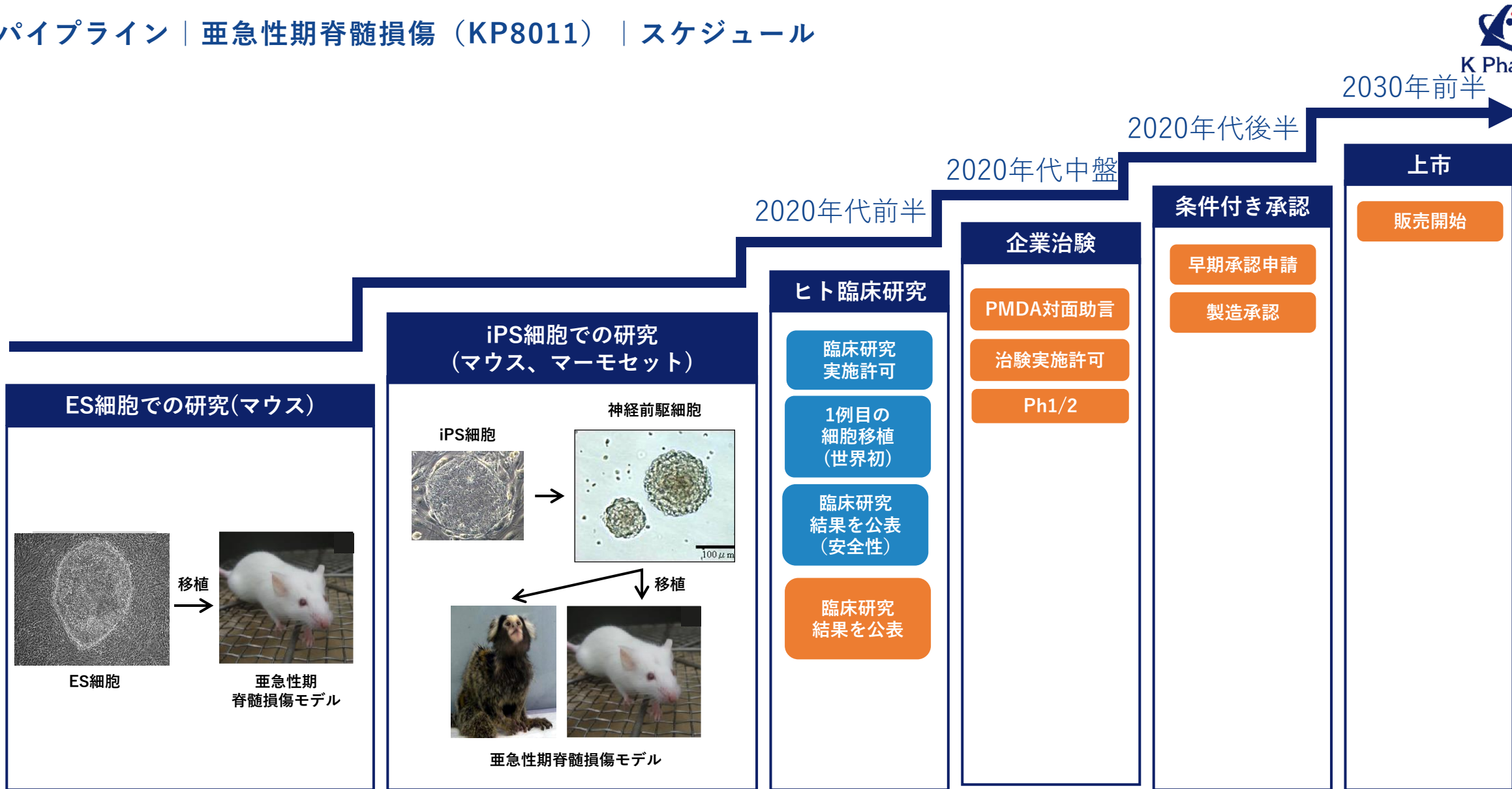


iPS細胞から分化誘導した神経前駆細胞を受傷部位に移植する

再生医療に活用する細胞としてES細胞が研究されたが、ヒト受精卵を用いることの倫理面や拒絶反応リスク、製造管理等が課題となり、2007年、京都大学山中教授が世界で初めて樹立したiPS細胞によって、当該課題を解消することができた。

iPS細胞は体性幹細胞と比較して、様々な細胞に分化することが可能な多能性を有しており、当社では、汎用性や市場性が高く、製造面の煩雑さも比較的低いと考えられる自身以外の細胞から樹立した他家iPS細胞を活用。

細胞の種類	汎用性	市場性	製造コスト	製造面の煩雑さ	がん化のリスク	拒絶反応の懸念	特許取得の可能性	保険適用の可能性	備考	
iPS細胞	自家	限定的	限定的	高	△	なし	なし	△	○	<ul style="list-style-type: none"> がん化のリスクは製造管理でコントロール可能 HLA(免疫拒絶剤) →改善
	他家	◎	◎	○	○	○	○ (HLAホモ細胞、免疫拒絶剤)	△	○	
ES細胞	他家	○	○ (X in JPN)	△	△	△	△	△	△	<ul style="list-style-type: none"> 倫理面の課題
体性幹細胞 (生体内に存在し、限定された細胞に分化できる幹細胞)	自家	限定的	△	高	○	なし	なし	△	○	<ul style="list-style-type: none"> 分化能が限定的
	他家	△	○	○	○	△	△ (免疫拒絶剤)	△	○	

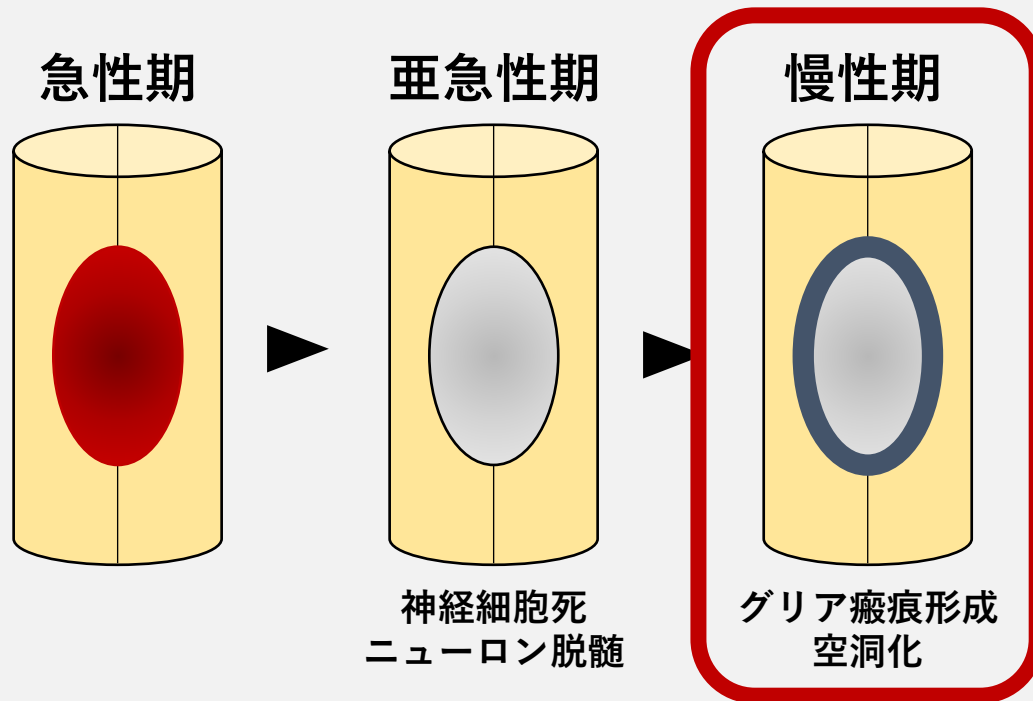


注) 開発の状況や治験の進捗等により、上記の想定通り進む保証はないもの

慢性期脊髄損傷治療の現状

慢性期脊髄損傷に対する十分な治療法は未だ確立されていない

経時的な脊髄損傷の病態変化



< 国内脊髄損傷患者 >

新規罹患患者数
年間約6千人
(49人/100万人)

急性期/亜急性期

累計患者数
10~20万人

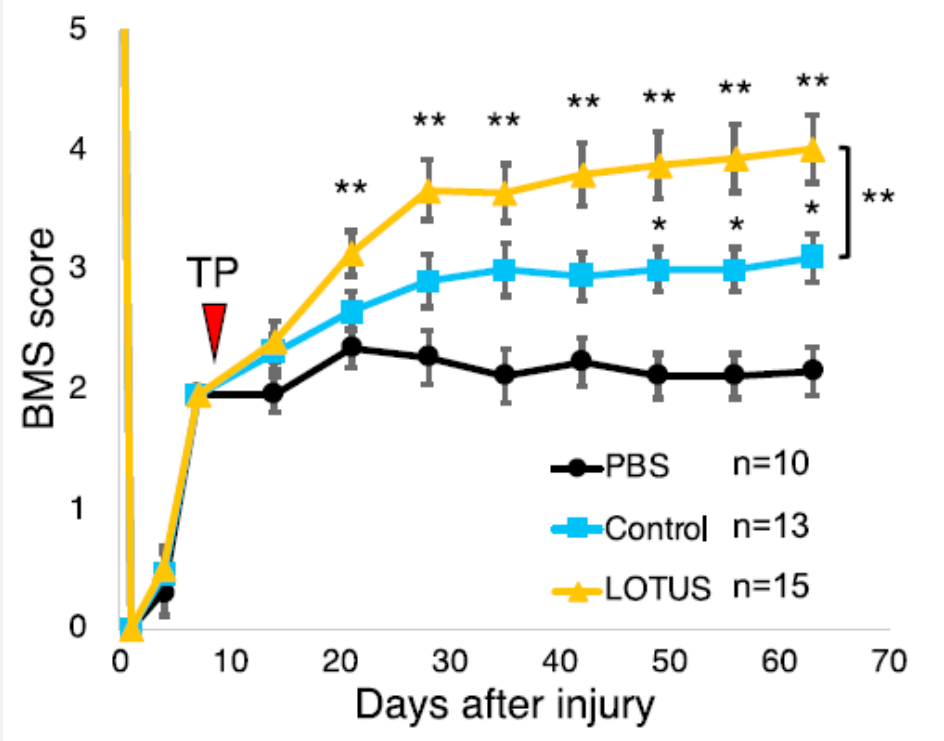
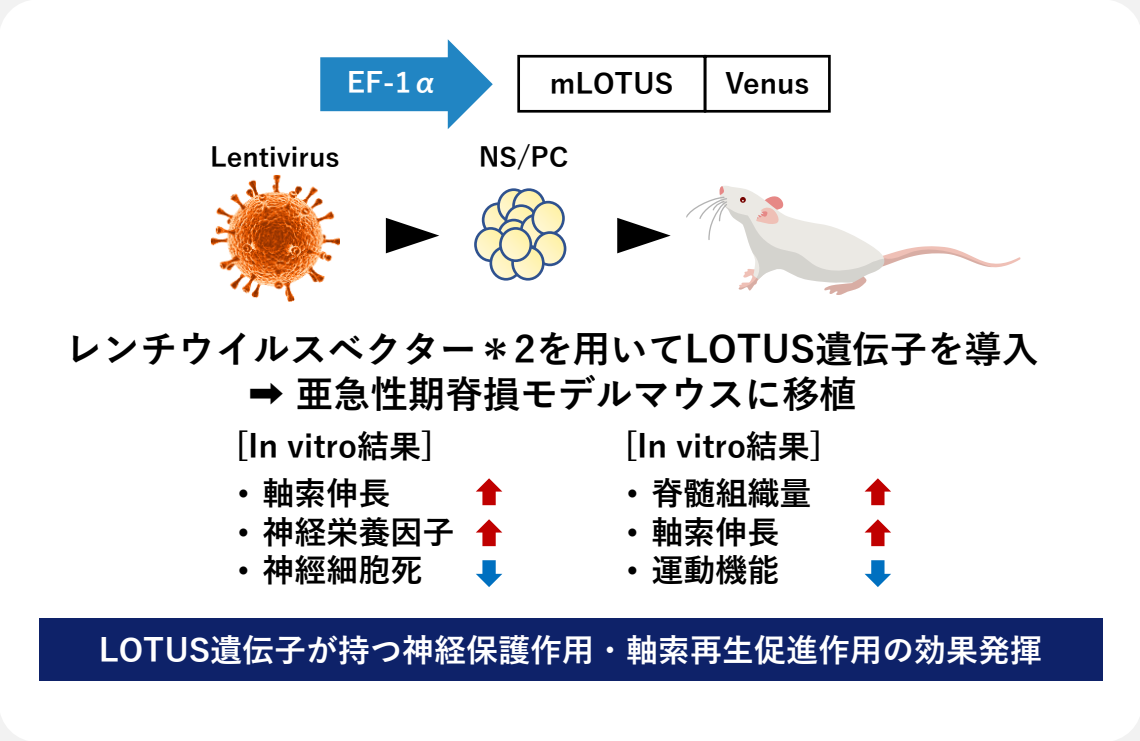
慢性期

慢性期脊髄損傷については、患者数が亜急性期と比較して多く、
亜急性期と一部メカニズムが共通しており研究成果を活用可能

出典：日本脊髄障害医学会による外傷性脊髄損傷の全国調査 (2018)
坂井宏旭 (総合リハビリテーション, 2008)

LOTUS* 1 遺伝子を導入した細胞の移植による回復効果 (脊髄損傷)

LOTUS遺伝子を導入した細胞の移植により運動機能の改善が見られた (慶應義塾大学)



*1 神経束を形成する因子として機能する膜タンパク
*2 レンチウイルスを使用して細胞に遺伝子を挿入するためのツール

出典: Ito, S., et al. Stem Cell Reports, 16: 1-15, 2021.

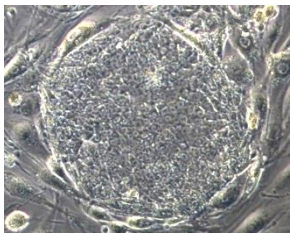
神経細胞の移植により、神経ネットワークの補完を行うこと等により治療を目指す

大阪医療センター、慶應義塾大学等により、
ヒト iPS 細胞由来神経前駆細胞の移植による亜急性期脳梗塞モデルラットに対して一定の神経機能改善効果を確認

大阪医療センターでは、慢性期脳梗塞に対する iPS 細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療開発を推進
* AMED 令和5年度「再生医療実用化研究事業」に採択

大阪医療センターと共同して、ケイファーマで独自に開発した神経前駆細胞への分化誘導法を活用して、
脳疾患の再生医療を推進

iPS細胞



ケイファーマ
分化誘導方法



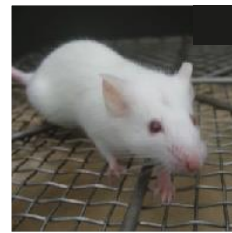
神経細胞



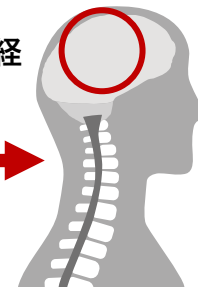
移植



慢性期脳梗塞ラットモデル等
での有効性安全性検証



梗塞部への神経
細胞の移植
(治験)



慢性期脳梗塞患者

脳出血・
外傷性脳損傷
への展開

再生医療事業の脳疾患については、国内においてiPS細胞移植による直接的な競合無し。
 特定の細胞に分化する能力を有する間葉系幹細胞と比較して、iPS細胞は全ての細胞に分化することが可能であり、汎用性や市場性が高く、製造面の煩雑さも比較的低いと考えられる。

		種類	対象	地域	研究開発状況
再生医療 脳疾患	当社	iPS細胞	慢性期 脳梗塞等	国内 将来的に海外	大阪医療センターとの 前臨床研究段階
	A社	間葉系 幹細胞	慢性期 外傷性 脳損傷	国内	申請中
	B社	間葉系 幹細胞	急性期 脳梗塞	国内	臨床試験中

※ 当社認識に基づくもの。

市場規模（国内）は以下を推定。

< 亜急性期脊髄損傷 >

750 億円



患者数 5,000人 / 年

< 慢性期脊髄損傷 >

2兆2,500 億円



患者数 15万人

出典：患者数：総合リハビリテーション「疫学調査」(坂井宏旭)2008年（脊髄損傷）

< 脳梗塞 >

19兆5,000 億円



患者数 130万人

< 慢性期外傷性脳損傷 >

8,250 億円



患者数 56,800人

出典：患者数：Clarivate Analytics（脳疾患）

< 慢性期脳出血 >

3 兆円



患者数 20万人

ALS、脊髄損傷それぞれの患者様団体と積極的なコミュニケーションを図り、一刻も早く患者様のもとに治療法を届ける事業運営を推進

IPS創薬（ALS 日本ALS協会様）

令和3年12月13日

厚生労働大臣 後藤 茂之 様
医薬・生活衛生局長 鎌田 光明 様
大臣官房審議官（医薬担当）山本 史 様
独立行政法人 医薬品医療機器総合機構（PMDA）
理事長 藤原 康弘 様

一般社団法人 日本ALS協会
会長 嶋守 恵之
102-0073 千代田区九段北 1-1-7
カーサ九段 405号
電話 03-3234-9155 FAX03-3234-9156

ALS 治験薬（ロビニロール塩酸塩）の薬事審査における
医薬品条件付早期承認制度の適用に関する要望

平素より、難病対策にご尽力いただき心より感謝申し上げます。

今年5月20日に報道発表された慶應義塾大学医学部等による世界に先駆けてのIPS細胞創製による筋萎縮性側索硬化症（ALS）のロビニロール塩酸塩の治験結果は「1年間の試験期間から、病気の進行を約7カ月遅らせる可能性があることがわかった」とされております。

ロビニロール塩酸塩はパーキンソン病の治療薬として2006年に保険薬適用されており安全性も確認されており、ALS既存薬に見られない大きな病状進行抑制効果がみられることから患者、家族の中に早期に保険適用できるようにしたいとの大きな期待が高まっております。

つきましては治験薬ロビニロール塩酸塩の一日も早い保険薬適用に向け、医薬品条件付早期承認制度を適用していただくよう要望致します。

当協会は1986年にALSの原因究明・治療法の確立と療養環境の社会的整備を目指して患者と家族を中心に遺族、医療福祉関係者、一般支援者が結集して結成された非営利団体です。

当協会は1996年から「ALS基金」による研究奨励を毎年続けており、更には「アイズ・パケツチャレンジグラント」より、今回の要望に関連する研究への助成も行っております。

ALSに有効な治療薬の早期薬事審査は国内約1万人（世界約40万人）のALS患者の切なる願いであり、どうぞご高配を賜りますようお願い申し上げます。

以上

再生医療（脊髄損傷 日本せきずい基金様）

Walk Again 2022

日時
10月22日(土)
11時45分開場 12時45分開演予定

会場
200人

場所
日本橋ライフサイエンスハブ
コレド室町3 8F
オンライン同時開催

演者
慶應義塾大学
岡野栄之 教授（オーガナイザー）
中村雅也 教授
村山医療センター
小林喜臣 先生
総合せき損センター
坂井宏旭 先生

京都大学IPS細胞研究財団
山中伸弥 教授（ビデオメッセージ）

参加費無料
参加申込み（先着順）
<https://docs.google.com/forms/d/1g6wVG4yf196JuidCGIY8csy7LSroLEjIQeGaY5tmM/edit>

主催：NPO日本せきずい基金
後援：厚生労働省、文部科学省、日本医療研究開発機構（AMED）、日本再生医療学会、日本脊髄障害医学会、
全国脊髄損傷者連合会、など（順不同/いずれも予定）
協賛：一般社団法人 日本損害保険協会

Index

- 01 会社概要
- 02 ハイライト
- 03 事業概要
- 04 パイプライン
- 05 // 成長戦略**

From Rare to Common diseases 戦略を推進して、国内から海外へ、希少性の高い疾患から患者様の多い一般的な疾患への展開を推進



Ph3治験実施準備中

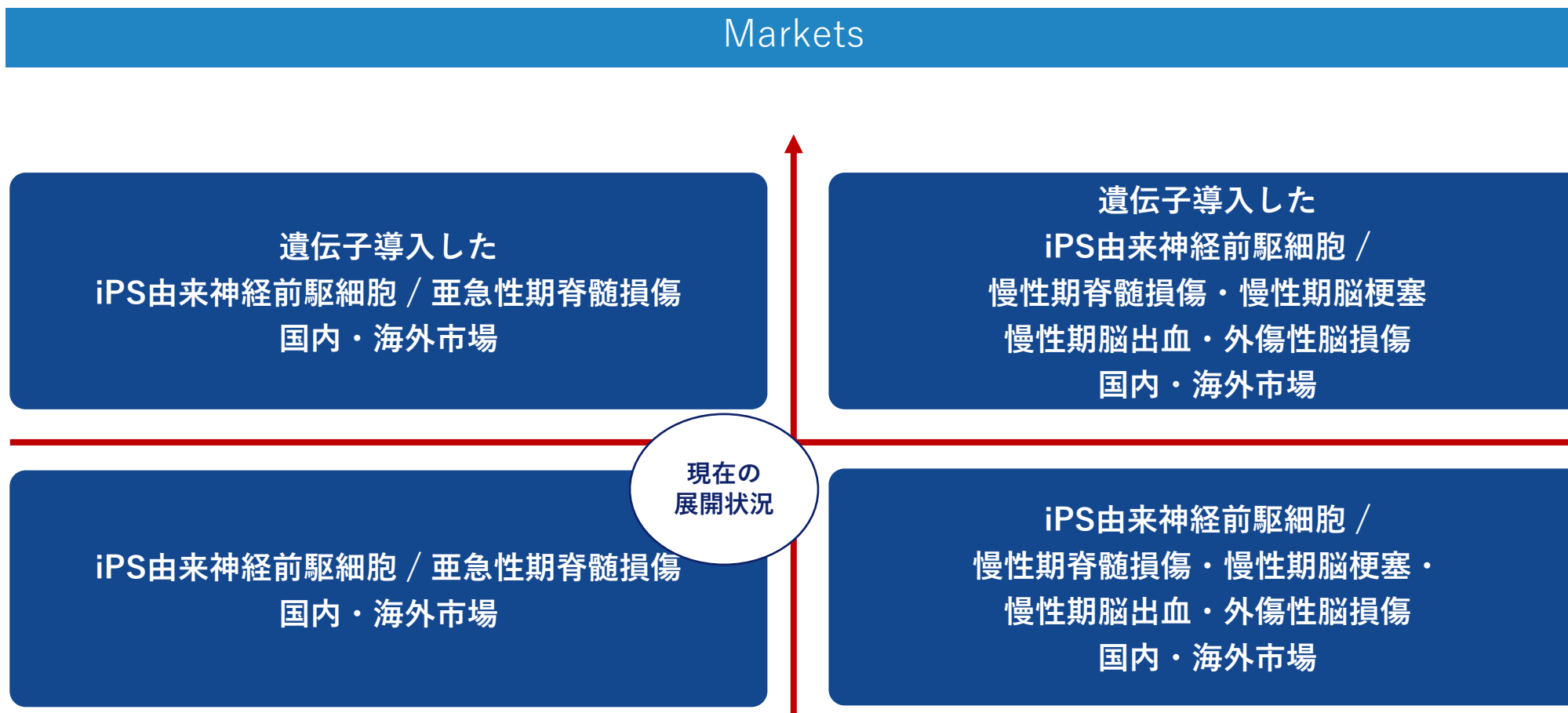
米国欧州
アジア地域への
展開を推進中

複数の神経難病
創薬を随時展開中
今後治験を準備予定

神経難病の
創薬開発をベースに
アルツハイマー病や
加齢性難聴の創薬展開準備中

神経中枢疾患領域の再生医療を、遺伝子導入等の最先端の技術を活用しながら、脊髄損傷から脳疾患に、国内から海外へ展開

対象疾患の拡大



先端技術の導入

Products

Markets

現在の展開状況

再生医療を世界中の患者様に

世界中の脊髄損傷、脳梗塞の患者様に対して、標準的な治療方法として、当社の提供する再生医療等製品が使用される

01

新しい医薬品、再生医療等製品の開発

最新のモダリティ、最新の創薬技術、最新の基礎研究の成果などを常に模索して、世界中に新しい医薬品、再生医療等製品を届ける

02

一般的な病気の治療薬を提供

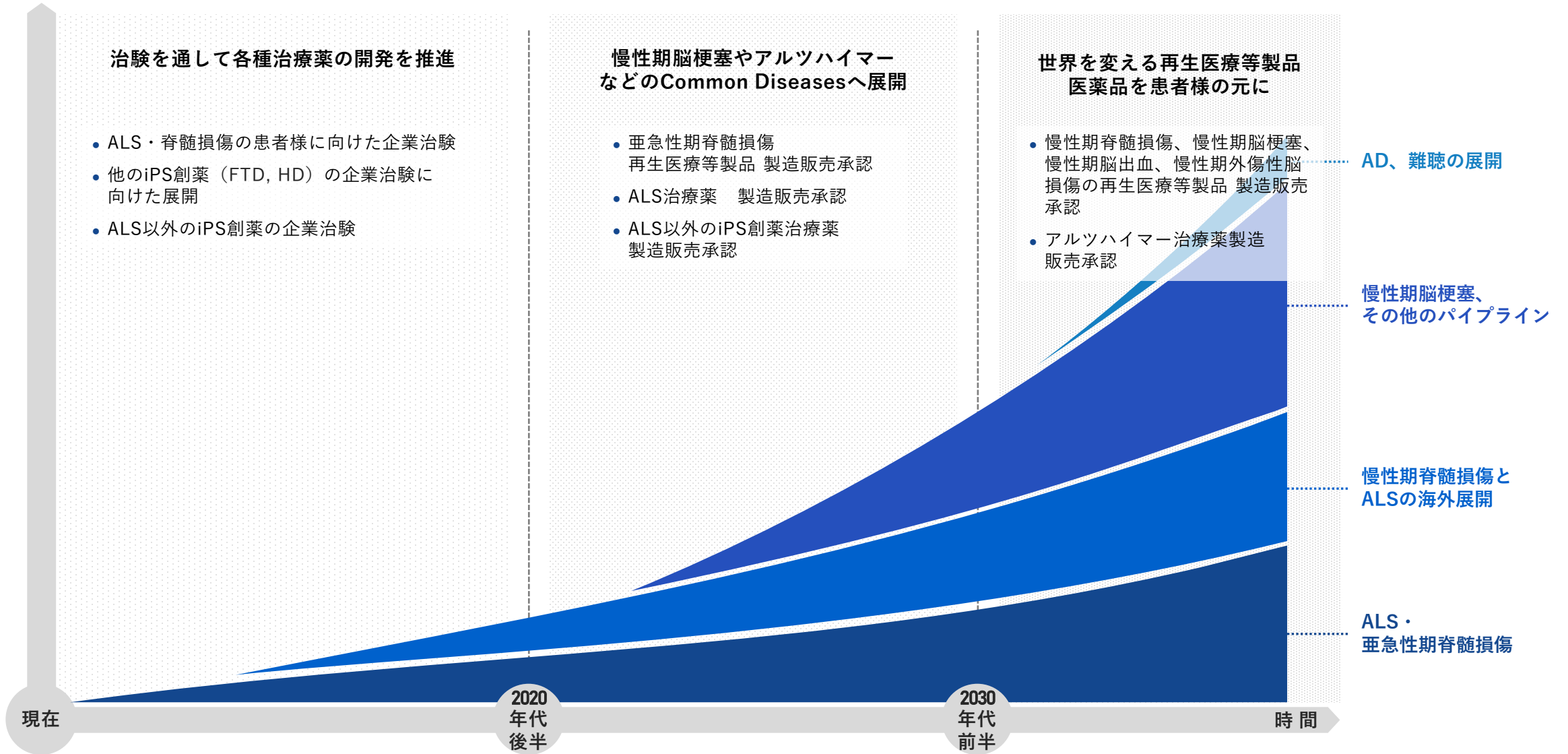
アルツハイマー型認知症などの患者様に対してiPS創薬プラットフォームの活用で発見された化合物が治療薬として使用される

04

世界中の研究機関や大学との産学連携を推進

世界中のアカデミア等で蓄積された基礎研究の成果を臨床の現場に橋渡しする役割果たす

03



注) 上記の図は、当社が考える売上高の成長を端的に示すためのイメージであり、将来の売上高の予想を示すものではなく、様々なリスクや不確定要素によって、実際の結果と大きく異なる可能性があるもの

以下の項目および使途にIPOにおいて調達した資金を充当していきます。なお、今後の当社の開発パイプラインにおける資金投資につきましては、臨床から上市に向けたフェーズであるパイプラインを中心に、主に、再生医療事業におきましては、リードパイプラインである亜急性期の脊髄損傷、iPS創薬事業におきましては、セカンドパイプラインであるFTD（前頭側頭型認知症）、HD（ハンチントン病）を先行して対応してまいります。

主な資金使途		充当予定金額 (百万円)	支出予定時期（百万円）	
項目	具体的な使途		2024年12月期	2025年12月期
研究開発費	iPS創薬事業、再生医療事業のそれぞれのパイプラインの研究開発資金（人件費除く）	1,118	700	418
米国拠点関連資金	最先端技術の導入や米国市場進出への拠点として、米国に今後設立予定である研究所の関連資金	300	300	-
運転資金	上記に記載した研究開発以外の国内研究開発及び管理業務に関する人件費	249	249	-
合計		1,667	1,249	418

※上記金額については確定したものではありません。

リスクの種類	リスクの内容	顕在化可能性	顕在化時期	顕在時影響	対応策
副作用発現	<ul style="list-style-type: none"> 臨床試験段階からさらには上市以降において予期せぬ副作用が発現する可能性 	小	長期	大	<ul style="list-style-type: none"> 患者様への迅速な情報提供体制や各関係医療機関とのネットワークを構築 患者/医療関係者への迅速な情報提供体制を構築 添付文書の記載等も含め製造物責任を含めた各種賠償責任に対応するための適切な保険に加入
ヒト由来の原材料の使用	<ul style="list-style-type: none"> 再生細胞薬はヒト細胞・組織を利用したものであり、利用するヒト細胞・組織に由来する感染の危険性を完全に排除し得ないことなどから安全性に関するリスクが存在する可能性 	小	長期	大	<ul style="list-style-type: none"> 前臨床及び臨床研究の段階で安全性の基準に従った評価・確認を徹底（原材料選定、製造工程など） 外部の専門家との円滑な連携体制を構築 将来的に製造物責任を含めた各種賠償責任に対応するための適切な保険に加入
知的財産権	<ul style="list-style-type: none"> 当社が保有又は実施許諾を受けている現在出願中の特許が全て成立しない可能性 特許が成立した場合でも、当社の研究開発を超える優れた他社の研究開発により、当社の特許に含まれる技術が淘汰される可能性 当社のような研究開発型企業にとって知的財産権侵害の問題を完全に回避することは困難であり、第三者との間で知的財産権に関する紛争が生じる可能性 	中	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 外部の知財事務所等の専門家と連携して特許権の確保を推進 前臨床段階においてFTO調査等により特許権の確保に関する事前確認を推進
慶應義塾大学との関係	<ul style="list-style-type: none"> 慶應義塾大学医学部生理学教室及び整形外科教室と共同研究において、利益供与を疑われる等の事態が発生する可能性や、同大学との取引が継続できない事態が発生する可能性 	小	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 共同研究契約等の契約関係を適切に運営管理 利益相反管理方針に沿って、利益相反取引が生じないように取締役会、監査役監査等におけるチェック体制を推進 他大学や研究機関、他企業及び自社研究機関による幅広い研究開発協業体制を構築
経営上の重要な契約	<ul style="list-style-type: none"> 「第2事業の状況 4 経営上の重要な契約等」に記載の内容において、当該契約の期間満了、相手先の経営状態の悪化や経営方針の変更による契約解除その他の理由による終了、若しくは当社にとって不利な改定が行われる可能性 	小	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 各契約先との円滑なコミュニケーション体制を構築 弁護士等の外部専門家との緊密な情報共有 社内の各関係部門間の適切な情報共有を推進 将来的に代替可能な手段、契約先の確保を推進 害賠償請求等の条項の確保など、適切な契約内容による締結を推進

※上記以外のリスクについては、有価証券報告書等における「事業等のリスク」をご覧ください。

リスクの種類	リスクの内容	顕在化可能性	顕在化時期	顕在時影響	対応策
パートナー企業との提携	<ul style="list-style-type: none"> 当社は、開発品の導入や導出のほか、研究開発から臨床、上市までの各段階において、製造、流通、販売等について、パートナー企業との広範な提携関係を構築し、適切なバリューチェーンの確立を図っており、当社の計画どおりに提携関係が構築できない場合、または、提携関係に想定し得ない変化が生じた場合や提携の効果が当初の計画を下回る場合、さらに、提携関係が当社の意図に反して解消された場合、当社の業績及び財政状態に影響を及ぼす可能性 	中	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 各契約先との円滑なコミュニケーション体制を構築 今後も事業基盤の強化、効率的な経営の実現に向けて、広範な提携関係の構築を推進
収益計上	<ul style="list-style-type: none"> 大手製薬企業等との共同開発及び販売権ライセンスアウトによる収益モデルを基本とした収益モデルのため、相手先企業の経営方針の変更や経営環境の極端な悪化等の事情によって期間満了前に終了する可能性 所定の成果達成に基づくマイルストーン収益の発生時期は開発の進捗に依存した不確定なものであり、開発の進捗次第で当社の業績及び財政状態に重大な影響を及ぼす可能性 	中	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 複数の開発パイプラインにおいてライセンスアウトする蓋然性を高める事業開発を推進 特に再生医療事業において自社において製造販売を行う取り組みを推進 共同研究開発や受託等、複数の収益モデルの取り組みを推進
業績及び資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> 当社はまだ安定的な収益基盤や資金基盤が確立されているわけではないことから、売上高、当期純利益（又は純損失）は不安定に推移し、適切なタイミングおよび条件で資金調達できる保証はなく、当社の業績および財政状態に重大な影響を及ぼし、資金調達並びに研究開発の継続や事業の継続・拡大に悪影響を及ぼす可能性 	中	中期	大	<ul style="list-style-type: none"> 新たなアライアンス契約締結の推進 資金調達手段の多様化の推進

※上記以外のリスクについては、有価証券報告書等における「事業等のリスク」をご覧ください。

Appendix

PL (百万円)	2021/12期	2022/12期	2023/12期 2Q
売上高	-	-	1,000
売上原価	-	-	90
売上総利益	-	-	910
販管費	219	353	258
営業利益	△219	△353	651
営業外収益	0	0	0
営業外費用	1	5	0
経常利益	△220	△359	651
税引前当期純利益	△229	△390	614
法人税等合計	△0	1	99
当期純利益	△228	△392	514
BS (百万円)	2021/12期	2022/12期	2023/12期 2Q
流動資産合計	204	1,370	2,221
現金及び預金	188	1,336	2,175
固定資産合計	1	3	3
資産合計	205	1,374	2,225
負債合計	26	38	374
資本金	100	100	100
資本剰余金	699	2,249	2,249
利益剰余金	△620	△1,012	△498
株主資本合計	178	1,336	1,851
純資産合計	178	1,336	1,851
負債純資産合計	205	1,374	2,225

筋萎縮性側索硬化症（ALS）	重篤な筋肉萎縮と筋力低下をきたす神経変性疾患であり、筋肉そのものの病気ではなく、運動ニューロンに障害が起きる
アルツハイマー病	脳内に異常な凝集体（アミロイド班）と線維のもつれ（神経原線維変化）が特徴として現れて、記憶障害、思考力障害、言語障害等の認知症症状が起きる
脊髄損傷	事故やケガなどにより脊椎に圧迫が加わることで、脊椎の中にある筒状の神経の束である脊髄が損傷を受けた状態
脳梗塞	脳内の血管が狭くなったり、血栓によって詰まることで、血液が流れなくなり、脳の神経細胞が壊死する状態
亜急性期脊髄損傷	脊髄が損傷を受けてから、約4週間以内にある脊髄損傷
慢性期脊髄損傷	脊髄が損傷を受けてから、一定の期間が経過した時期にある脊髄損傷
iPS細胞	人の皮膚や血液等の細胞に少数の因子を加え培養することで、人工的に作製される、様々な細胞に分化することができ、かつ、増殖することができる多能性幹細胞（induced pluripotent stem cell）
分化誘導	iPS細胞から様々な異なる細胞への分化を引き起こすこと
神経前駆細胞	未分化な状態を保ったまま増殖することが可能な自己複製能と、中枢神経系を構成するニューロン、アストロサイト、オリゴデンドロサイトの3系統の細胞へと分化することができる多分化能を併せ持つ細胞
医師主導治験	大学等で見出した薬の効果を確かめる場合に、医師が中心となり試験の計画、実施を行うこと
プラセボ	治療効果を持たない（有効成分を含まない）薬剤（でんぷんや糖など）
運動ニューロン	筋肉の細胞に命令を伝達する神経細胞であり、主に大脳皮質から脊髄を下降する上位運動ニューロンと、脊髄から動かす筋肉に伝達する下位運動ニューロンに分かれる
iPS創薬	病気の患者由来のiPS細胞に対する化合物スクリーニングによって対象とする疾患に対する治療薬を見出す創薬手法

本資料の取り扱いについて

- 本資料は、株式会社ケイファーマ（以下「当社」といいます）の企業情報等の提供のために作成されたものであり、国内外を問わず、当社の発行する株式その他の有価証券への勧誘を構成するものではありません。また、本資料に基づいて被ったいかなる損害についても、当社及び情報提供者は一切責任を負いかねます。
- 本資料に記載されている将来予想に関する記述は、当社が現在入手可能な情報を勘案した上での、当社の現時点における仮定及び判断に基づくものであり、既知及び未知のリスク、不確実性その他の要因を含んでいます。当該リスク、不確実性その他の要因により、当社の実際の業績又は財務状態が、将来予想に関する記述により表示又は示唆されている将来の業績又は財務状態から大きく乖離する可能性があります。
- 本資料における記述は、本資料の日付時点で有効な経済、規制、市場その他の条件に基づくものであり、後発する事象により本資料における記述が影響を受ける可能性があります。当社は、法令または取引所規則により開示をする義務を負う場合を除き、その記述を更新、改訂または確認する義務も計画も有しておりません。
- 本資料の作成にあたり、当社は当社が入手可能なあらゆる情報につき、その真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としていますが、その真実性、正確性あるいは完全性について、当社は何ら表明及び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。
- 本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、第三者が、その他の目的で公開又は利用することはできません。
- 本資料に記載されている当社以外の企業等に関する情報及び第三者の作成に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、そのデータ・指標等の正確性・適切性等について、当社は独自の検証は行っておらず、何らその責任を負うことはできません。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です