



2021年9月期 第2四半期決算説明会

2021年5月26日

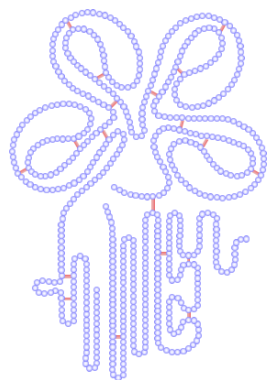
クリングルファーマ株式会社
(東証マザーズ：4884)

- 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。
- 今後、新しい情報・将来の出来事等があった場合において、当社は、本資料に含まれる将来に関するいかなる情報についても、更新・改訂を行う義務を負うものではありません。
- また、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。

- **会社概要**
- **開発パイプラインの概要**
 - 脊髄損傷急性期
 - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
 - 声帯癒痕
 - 急性腎障害
- **HGF関連創薬の活発化**
- **今後の成長戦略**
- **2021年9月期第2四半期決算概況**
- **質疑応答**

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



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	607百万円 (2021年3月末時点)
役員数	取締役6名、監査役3名
従業員数	10名 (2021年3月末時点)



レイトステージ再生創薬バイオベンチャー

- 希少疾病を対象に自社開発を推進
- 脊髄損傷急性期パイプラインの事業化の見通し
 - 第 I / II 相試験により有効性を示唆→希少疾病用医薬品指定*を取得
 - 第 III 相試験実施中 (HGF投与群のみ、全25症例)
 - サプライチェーン確立済み (丸石製薬(株)、東邦ホールディングス(株))

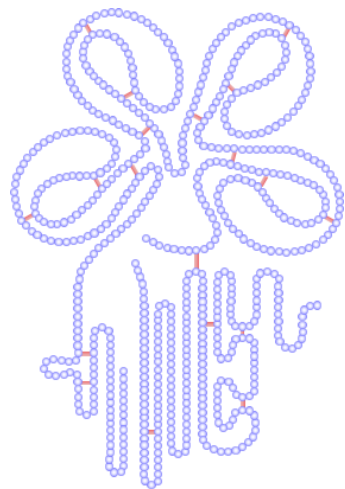


HGF再生治療薬のプラットフォーマー

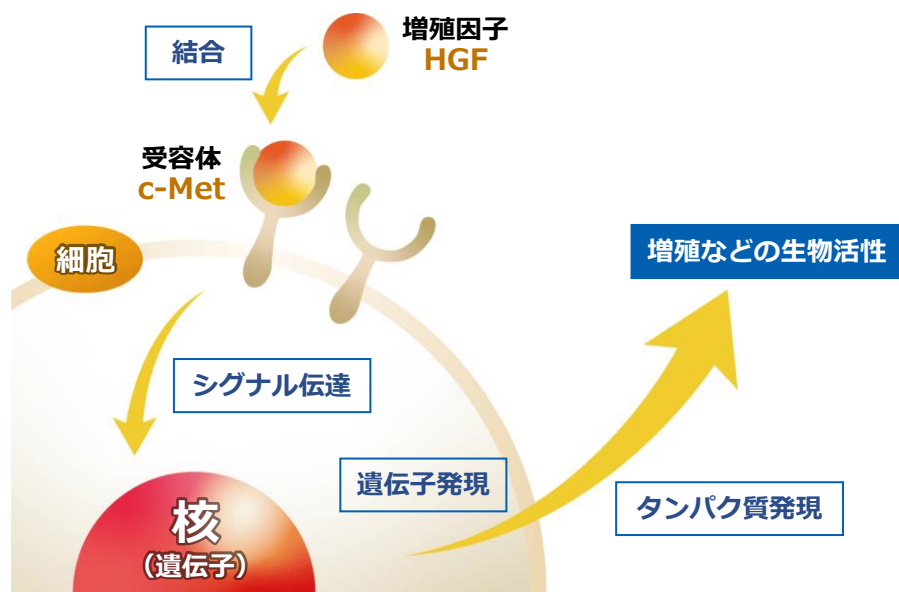
- 組換えHGFタンパク質：ファースト・イン・クラスの開発シーズ
- 医薬品としての製造・量産体制を確立
- 多くの疾患への適応拡大による成長可能性
 - 米国クラリス社への原薬供給による眼科領域での開発

* 指定番号：(31薬)第442号

HGF（肝細胞増殖因子） ～難治性疾患の再生治療薬～



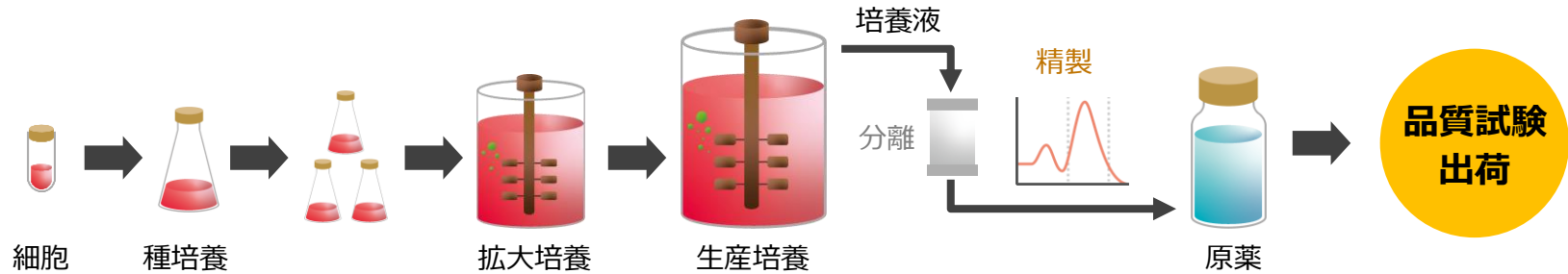
- 日本で発見された、からだの中に存在するタンパク質
- 692個のアミノ酸がつながる比較的大きな構造
- 複雑な構造（クリングル構造と言う：社名の由来）
- マルチな生物学的機能
- 組織・臓器を「保護」、「再生」、「修復」



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

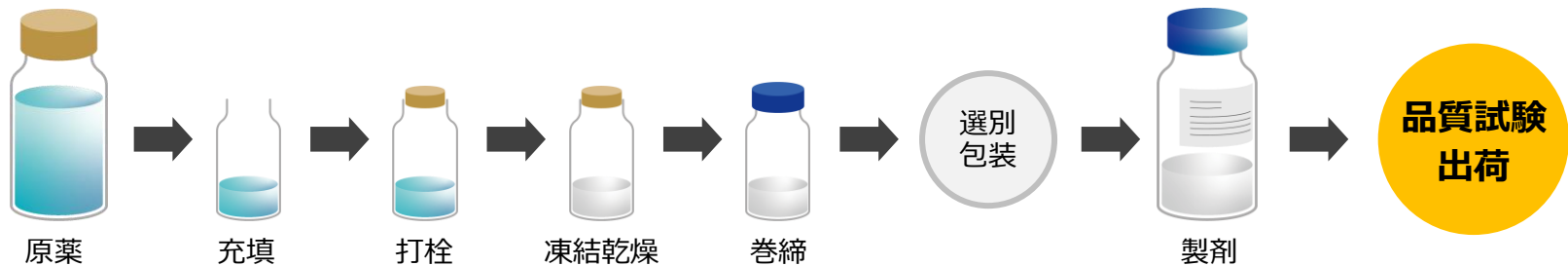
原薬製造

- 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



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マー：希少疾病を対象とする戦略

希少疾病



対象疾患

脊髄損傷急性期、ALS、声帯癒痕

バイオ医薬品



開発品目

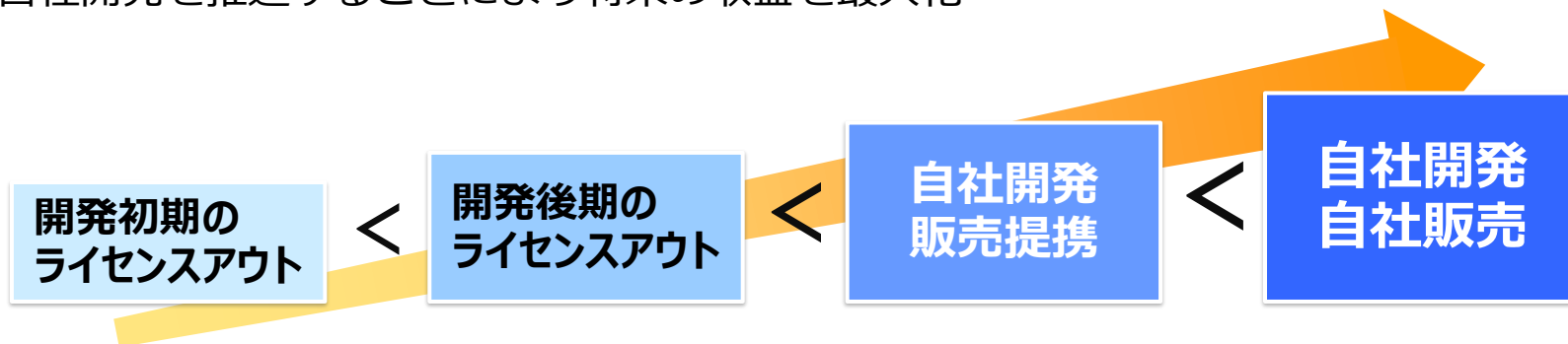
組換えHGFタンパク質



- 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



HGF再生治療薬のプラットフォーム：当社のビジネスモデル

一般的な
新薬開発
プロセス



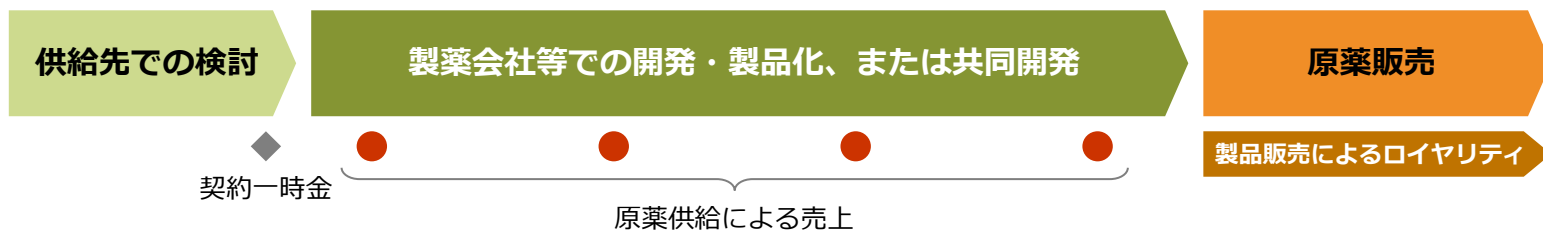
A 自社開発・販売モデル 当社の目指す最終形態、中長期的な収益の最大化を図る



B 導出・共同開発モデル 通常の創薬バイオベンチャーのモデル



C 原薬供給モデル HGF再生治療薬のプラットフォームならではのモデル



当社の
事業

開発パイプラインの概要

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：1件、第Ⅱ相：2件）
- 最も開発ステージの進んでいる**脊髄損傷急性期を対象とした医薬品開発に注力し、自社で薬事承認を得る**ことにリソースを集約

ビジネスモデル	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		
A+B	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相試験実施中	終了	実施中		2022年後半終了予定	
B	2	ALS	第Ⅱ相試験（プラセボ対照二重盲検比較試験）実施中（医師主導治験） 症例組入れ終了、投与期間継続中	終了	実施中		2022年前半終了予定	
A+B	3	声帯癒痕	第Ⅰ/Ⅱ相試験（オープンラベル用量漸増試験）終了（医師主導治験） 次相試験計画中	終了		計画中		
B	4	急性腎障害	第Ⅰa、Ⅰb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*：5,000人/年 (日本)、6万人/年 (全世界)
- 運動神経・知覚神経の傷害
- 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**
 - － ステミラック注 (ヒト (自己) 骨髄由来間葉系幹細胞) 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)

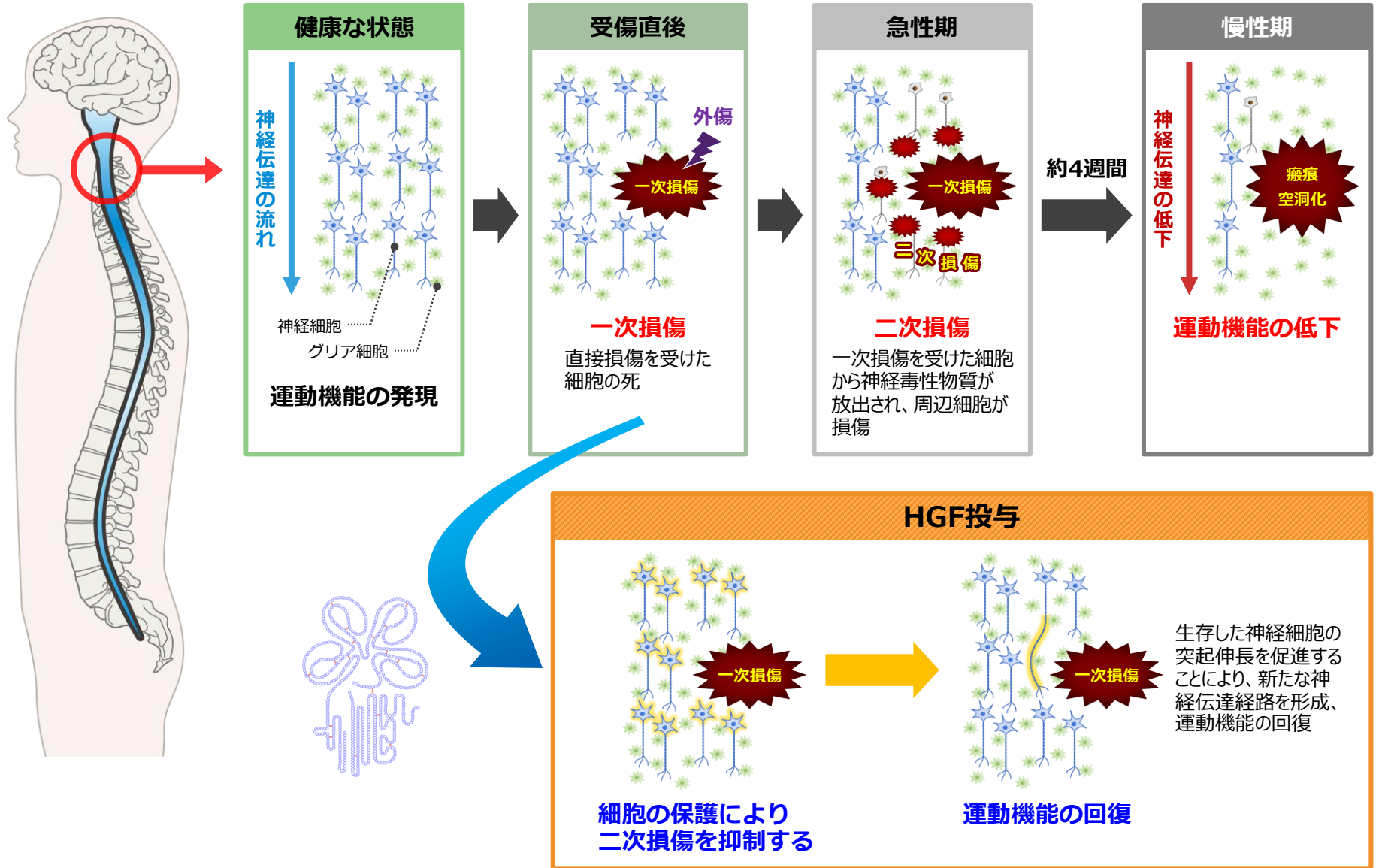


* 出典：坂井宏旭ら「わが国における脊髄損傷の現状」(2010)、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Facts and Figures at a Glance (2019) 及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

脊髄損傷急性期にHGFに期待する治療効果



Kringle
Pharma





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

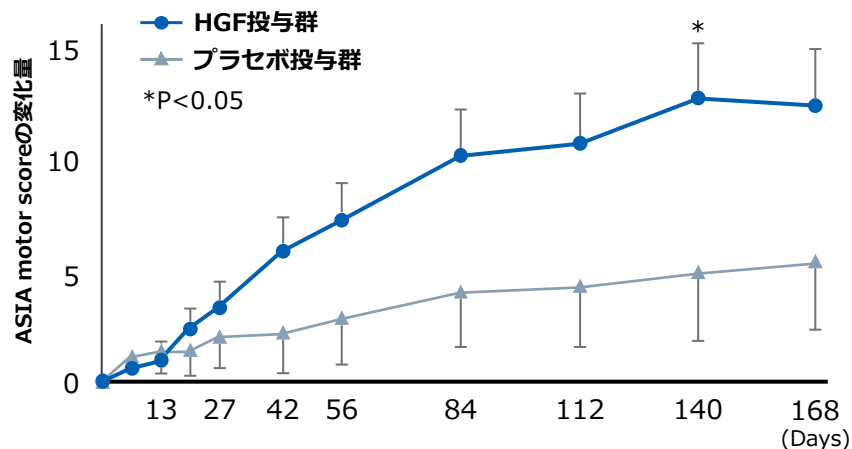
安全性について

大きな問題はなかった

有効性について

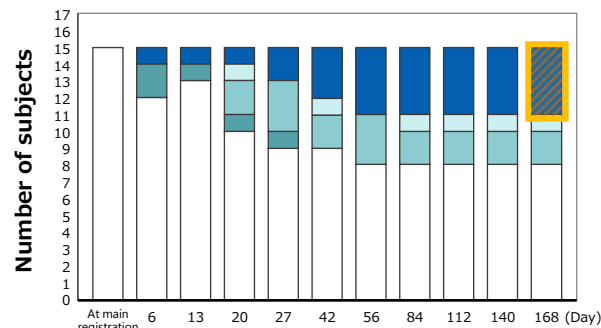
有効性の示唆を得た
(POCが得られた)

ASIA motor scoreの変化量



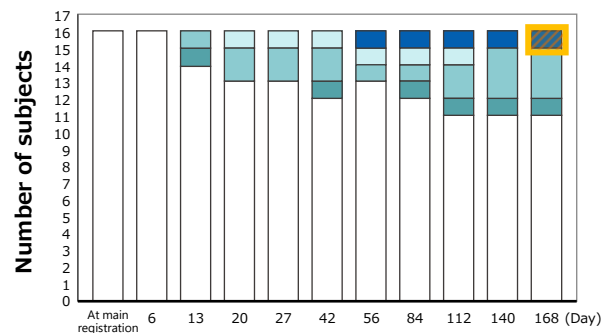
改良Frankel分類の経時的な推移 (部分集団解析 投与前Aの症例)

HGF投与群



AからC1への改善割合
26.7%

プラセボ投与群



6.3%

Nagoshi et al, J Neurotrauma. 2020.

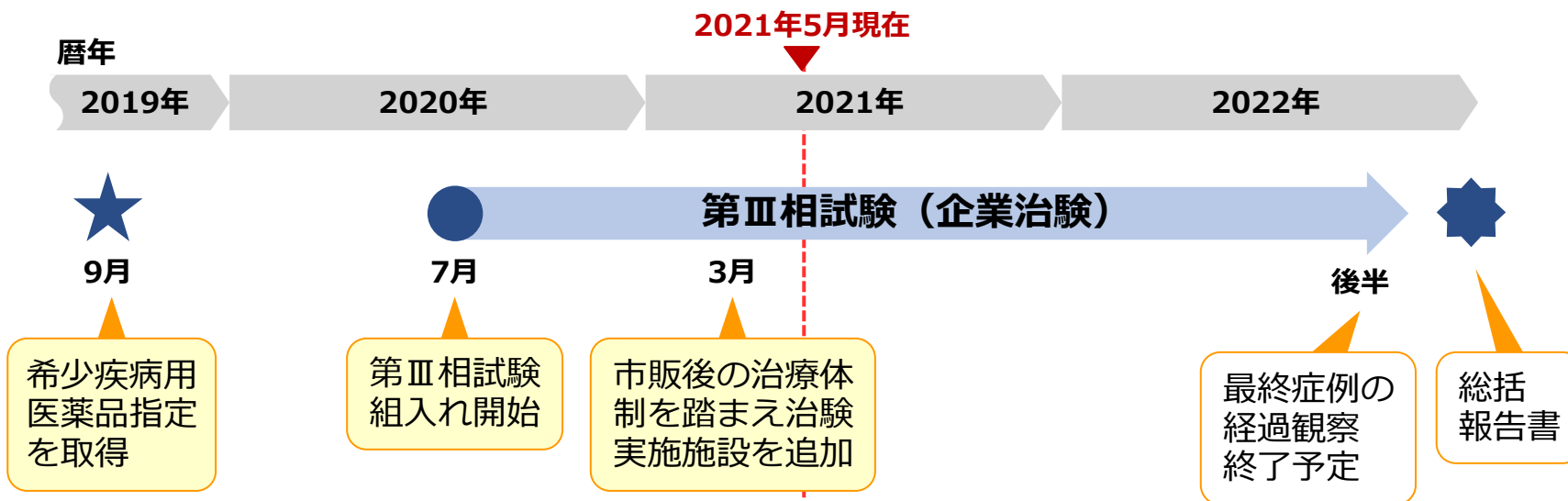
2019年9月 本試験結果を踏まえて、希少疾病用医薬品指定 (オーファン指定) を受けた (日本のオーファン指定品目の上市確度は極めて高い*)

* 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）

組入れ
継続中

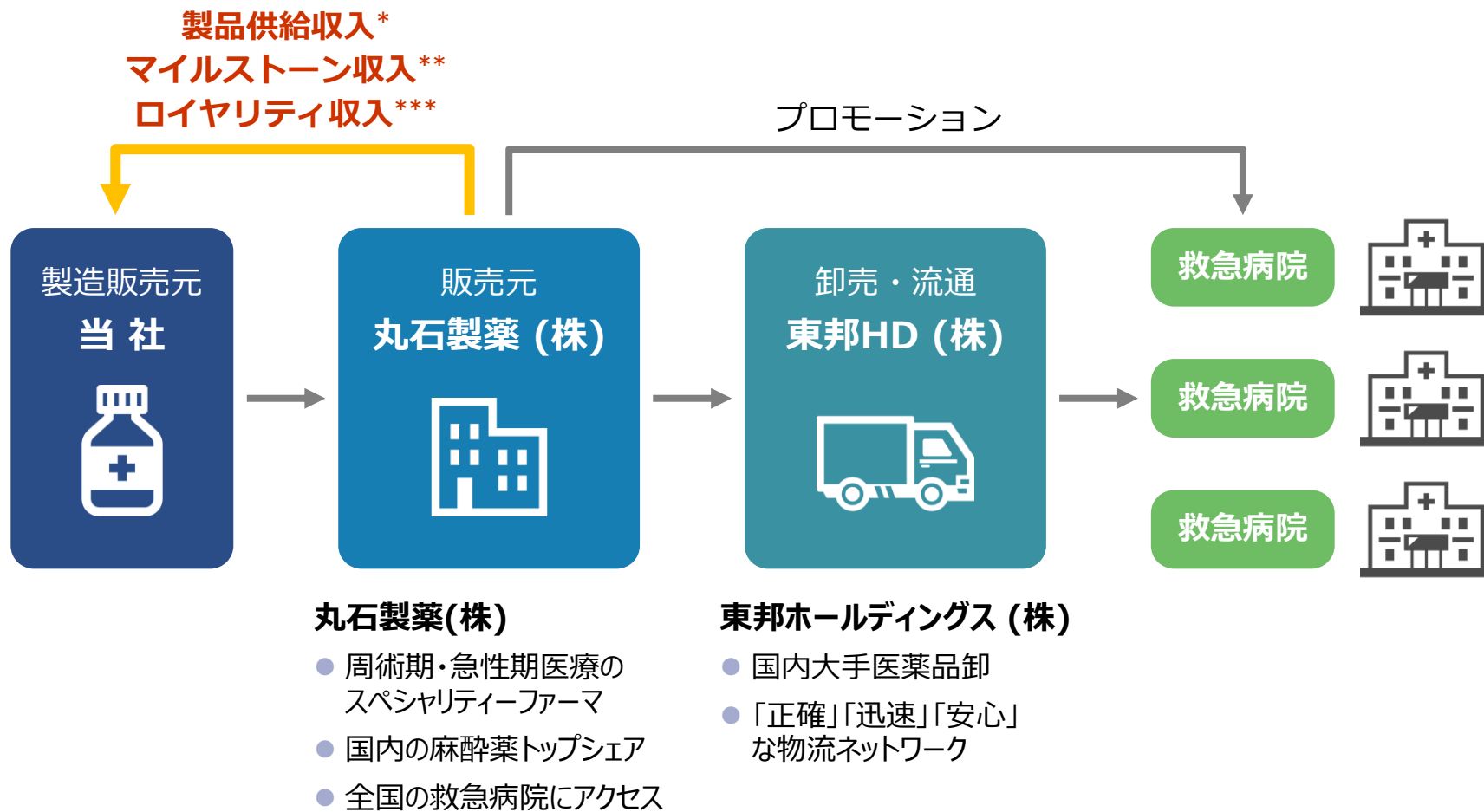
- 試験デザイン： 多施設共同非ランダム化試験
- 目標症例数： 25症例（HGF投与群のみ）
- 対象患者： 頸髄損傷（AIS分類：A）、年齢：18～89歳
- 用法： 脊髄腔内投与（週1回×5回）、観察期間6カ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6カ月のAISがC以上に改善した症例割合
- 実施施設： 国内5ヶ所



治験実施施設

- 総合せき損センター
- 北海道せき損センター
- 村山医療センター
- 神戸赤十字病院
- 愛仁会リハビリテーション病院

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 – 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*：9,800人 (日本)、8.5万人 (全世界)
- 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)



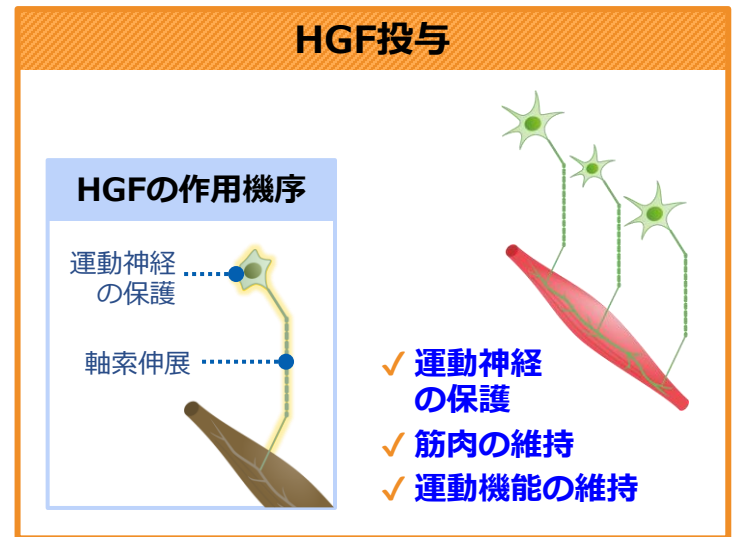
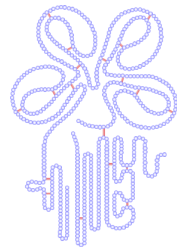
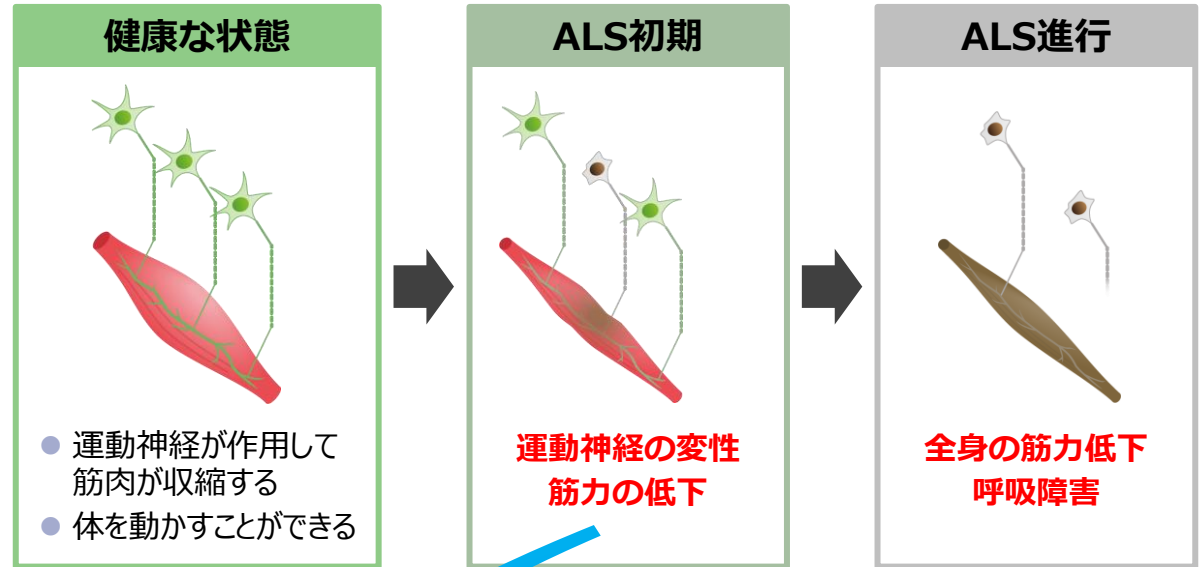
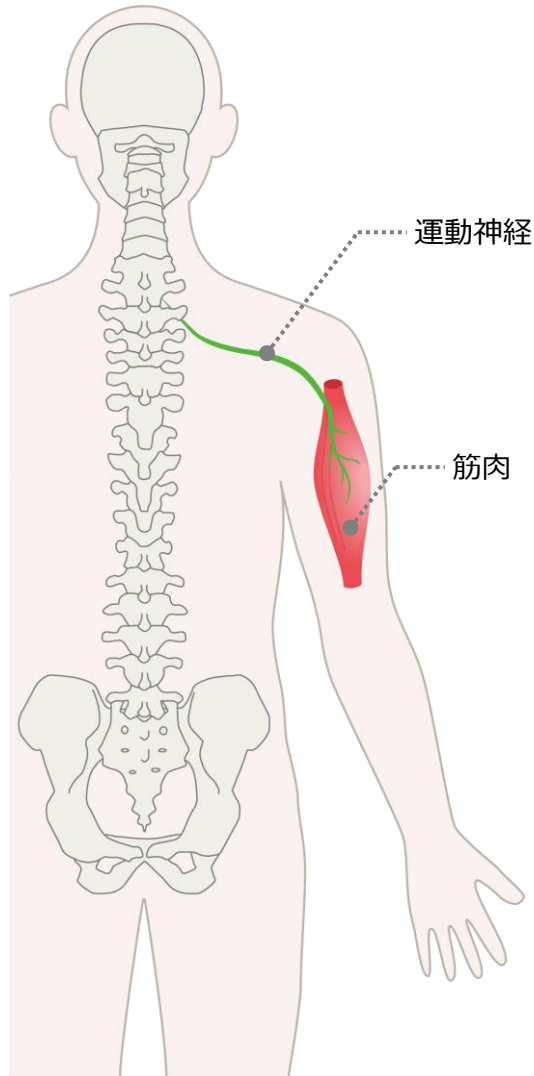
* 出典：平成30年度末現在 特定医療費 (指定難病) 受給者証所持者数、Arthur et al. Nat. Commun. (2016)

** 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に対するHGFの作用



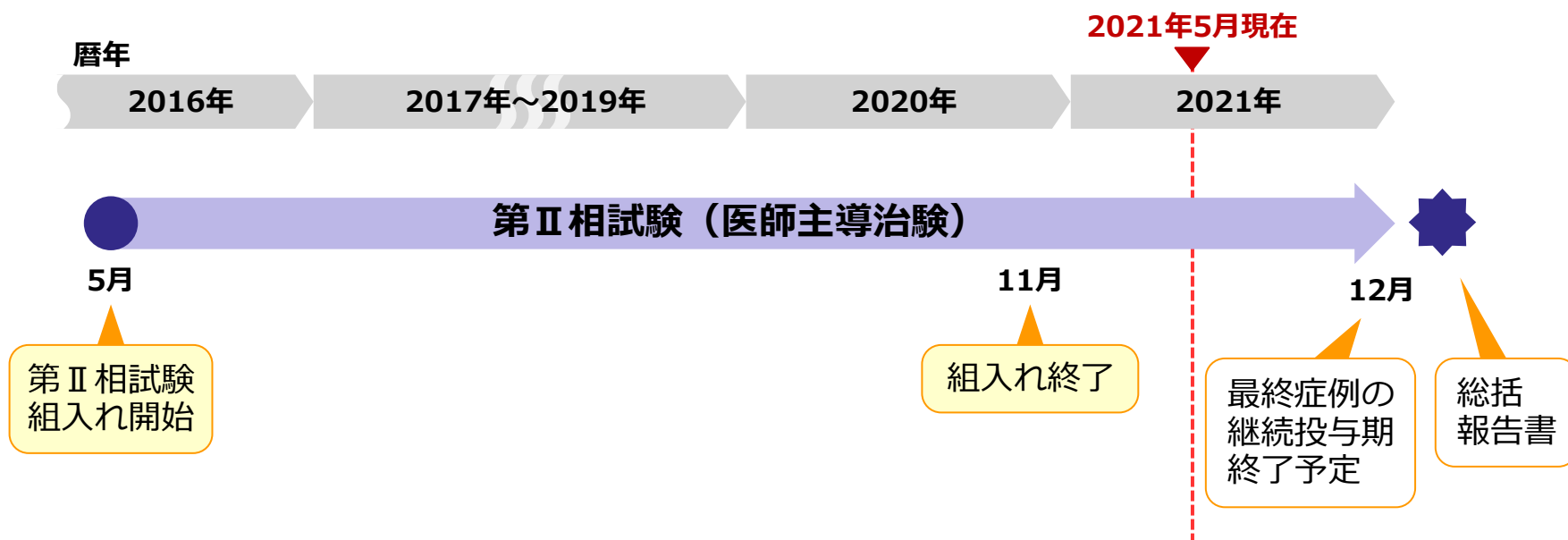
Kringle
Pharma



ALS 第Ⅱ相試験（医師主導治験）

組入れ終了
投与継続中

- 試験デザイン： プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験
- 目標症例数： 48症例（HGF投与群：32症例、プラセボ群：16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



開発パイプライン

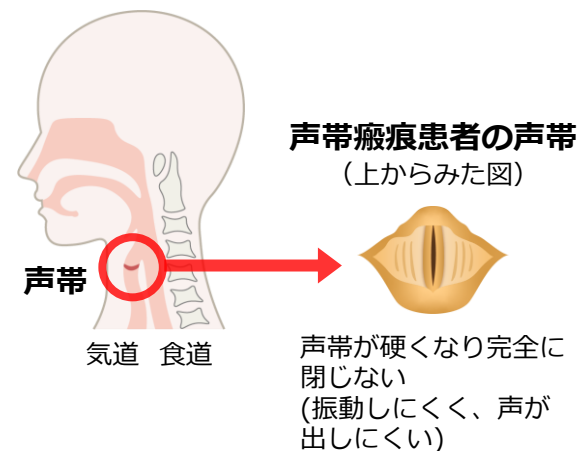
－ 声帯癒痕 －

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 (全世界)
- 有効な治療法はない

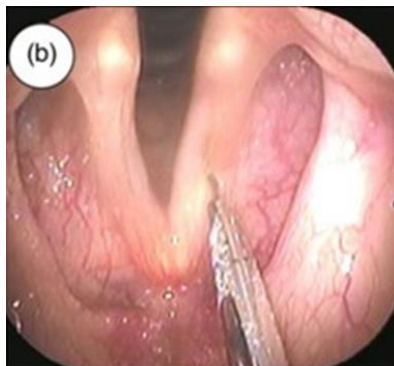


* 出典：角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究。
平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

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

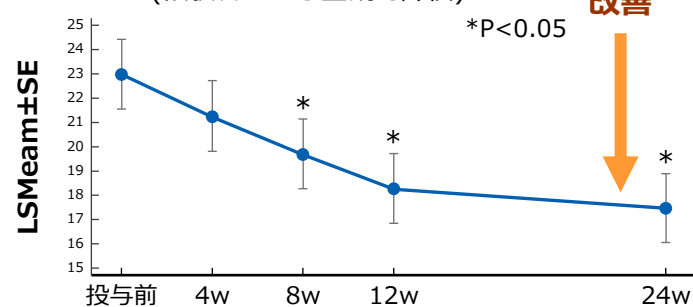
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1μg、3μg、10μg/片側声帯/回 1回/週、計4回、 両側声帯粘膜内局所投与
主要評価項目	安全性 ⇒ 良好であった
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 ⇒ 有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた



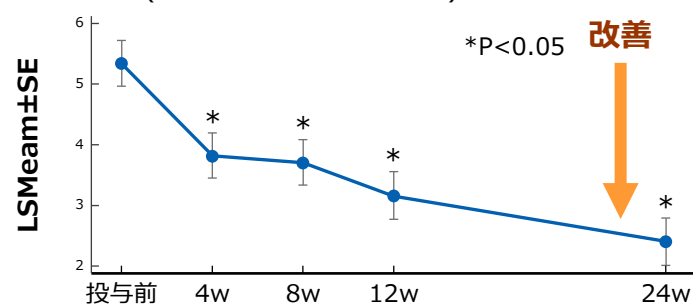
投与方法：
喉頭注射針 (a) を用いて声帯局所に注射する (b)

第III相試験を計画中
補助金等の獲得を目指す

VHI-10 (被験者による主観的評価)

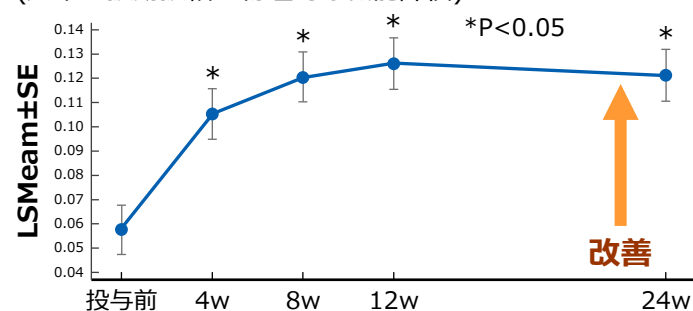


GRBAS (第三者による聴覚的評価)



Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

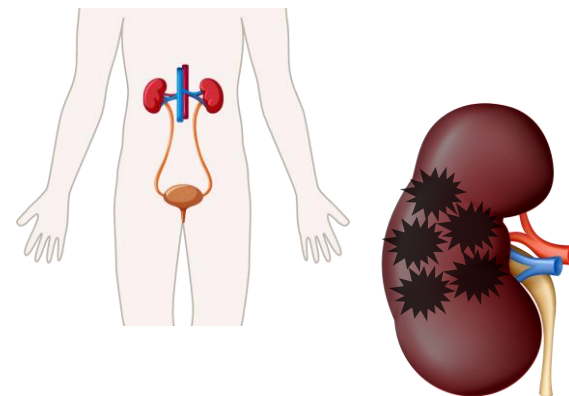


開発パイプライン

－急性腎障害－

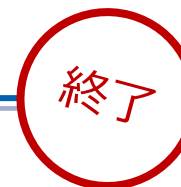
疾患の特徴

- 原因： 腎虚血、腎炎、造影剤、手術、薬物など
- 患者数*： 7.6万人 (日本)、76万人 (全世界)
- 発症頻度**： 入院患者の5～7%、
ICU入室患者の20～25%
- 死亡率**： 約50% (ICU患者では70%)
- 根本的な治療法はない
- 対症療法： 食事療法 (低タンパク食、減塩、カリウム制限食)、利尿薬、カリウムイオン交換樹脂、透析 など



* 出典：内科学第10版 (2013)、Medscape Reference HP (2018)、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

** 出典：Medscape Reference HP (2018)、Liano et al. Kidney Int. (1998)



第 I a、I b相試験

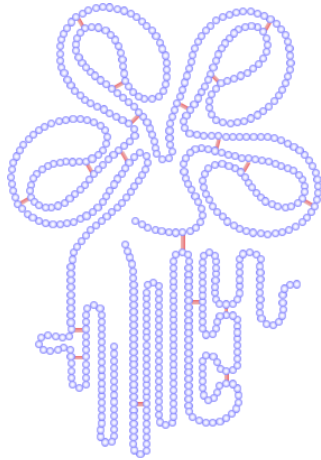
安全性と薬物動態を確認する試験

デザイン	第 I a相：オープンラベル、用量漸増試験 第 I b相：プラセボ対照二重盲検比較試験
患者母集団	18歳以上85歳以下の慢性腎不全患者
用法用量	第 I a相：3用量 (各群3例)、 静脈内単回投与 第 I b相：2用量、1回/日、5回、 静脈内反復投与
主要評価項目	安全性及び忍容性 ⇒ 重篤な副作用及び死亡例はなかった
副次評価項目	薬物動態の解析 ⇒ 単回投与で投与後速やかに消失し、反復投与で蓄積性はみられなかった

- 当該試験において静脈内投与の安全性と薬物動態が確認された
- 静脈内投与は最も全身性に被験薬が到達するため、安全性の問題が発生しやすい
- 他の投与経路の開発を進める上で、全身暴露の安全性に関する重要な知見が得られた
- 静脈内投与により様々な疾患への適応拡大が検討可能となった

第 II 相試験は、大規模なプラセボ対照二重盲検比較試験となる見込みであるため製薬企業のパートナーを得て実施する方針

HGF関連創薬の活発化



ヒトの疾患原因の研究、動物実験からHGFの医薬品としての有効性が期待されている

しかし、

- × HGFの製造方法は難しい
- × HGFは血中半減期が短い
- × HGFは飲み薬にできない

当社：組換えタンパク質




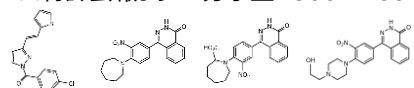
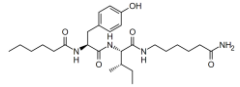

- ✓ 製造方法を自社開発
- ✓ 適切な投与方法を選択
(脊髄腔内投与、局所投与など)
- ✓ 用量を下げ事業性を確保

開発戦略

他社：HGFアゴニスト活性を持つ別のモダリティー

- 遺伝子治療 アンジェス
 Helixmith
- 低分子化合物 Angion
 Athira Pharma
- 抗体断片 AgomAb

HGF関連創薬がグローバルで活発化

企業情報	開発品	構造・モダリティ	対象疾患 (開発段階)、投与方法
当社 東証マザーズ上場 時価総額：36億円	KP-100 (組換えHGF タンパク質)	タンパク質 分子量：約8.5万 	脊髄損傷急性期 (日本第Ⅲ相) – 脊髄腔内投与 ALS (日本第Ⅱ相) – 脊髄腔内投与 声帯癒痕 (日本第Ⅱ相) – 声帯内局所投与 急性腎障害 (米国第Ⅰ相) – 静脈内投与
アンジェス 東証マザーズ上場 時価総額：1,438億円	ベペルミノゲン ペルプラスミド (HGF遺伝子)	遺伝子  ヒトHGF遺伝子を含む プラスミドDNA 分子量：数百万	慢性動脈閉塞症潰瘍 (日本承認済) 慢性動脈閉塞症安静時疼痛 (日本第Ⅲ相) 慢性動脈閉塞症 (米国第Ⅱ相) – 筋肉内投与
Helixmith (韓国) KOSDAQ上場 時価総額：1,001億円	Engensis (VM202) (HGF遺伝子)	遺伝子  ヒトHGF遺伝子 (2種類) を含むプラスミドDNA 分子量：数百万	有痛性糖尿病性末梢神経障害、糖尿病性足部潰瘍 (ともに米国第Ⅲ相)、ALS (米国第Ⅰ相)、虚血性心疾患、Charcot-Marino-Tooth病 (ともに韓国第Ⅰ相) – 筋肉内投与
Angion (米国) NASDAQ上場 時価総額：473億円	ANG-3777 (HGFの類似作用)	低分子化合物 ※特許公報より 分子量：300~400 	腎移植に伴う急性腎障害 (米国第Ⅲ相) 心臓手術に伴う急性腎障害 (米国第Ⅱ相) 急性肺障害 (ブラジル第Ⅱ相) – 静脈内投与
Athira Pharma (米国) NASDAQ上場 時価総額：729億円	ATH-1017 (HGFの増強作用)	低分子化合物 ※参考: Dihexaの構造 分子量：約500 	アルツハイマー病 (米国第Ⅱ/Ⅲ相) – 皮下投与、経口投与
AgomAb (ベルギー) 未上場 シリーズB：81億円調達	AGMB-101 (HGFの類似作用)	タンパク質 (抗体断片) 分子量：1.2~1.5万  ラマ抗体 4nm Nanobody 2.5nm	対象疾患非開示 (治験準備中) – 投与方法非開示

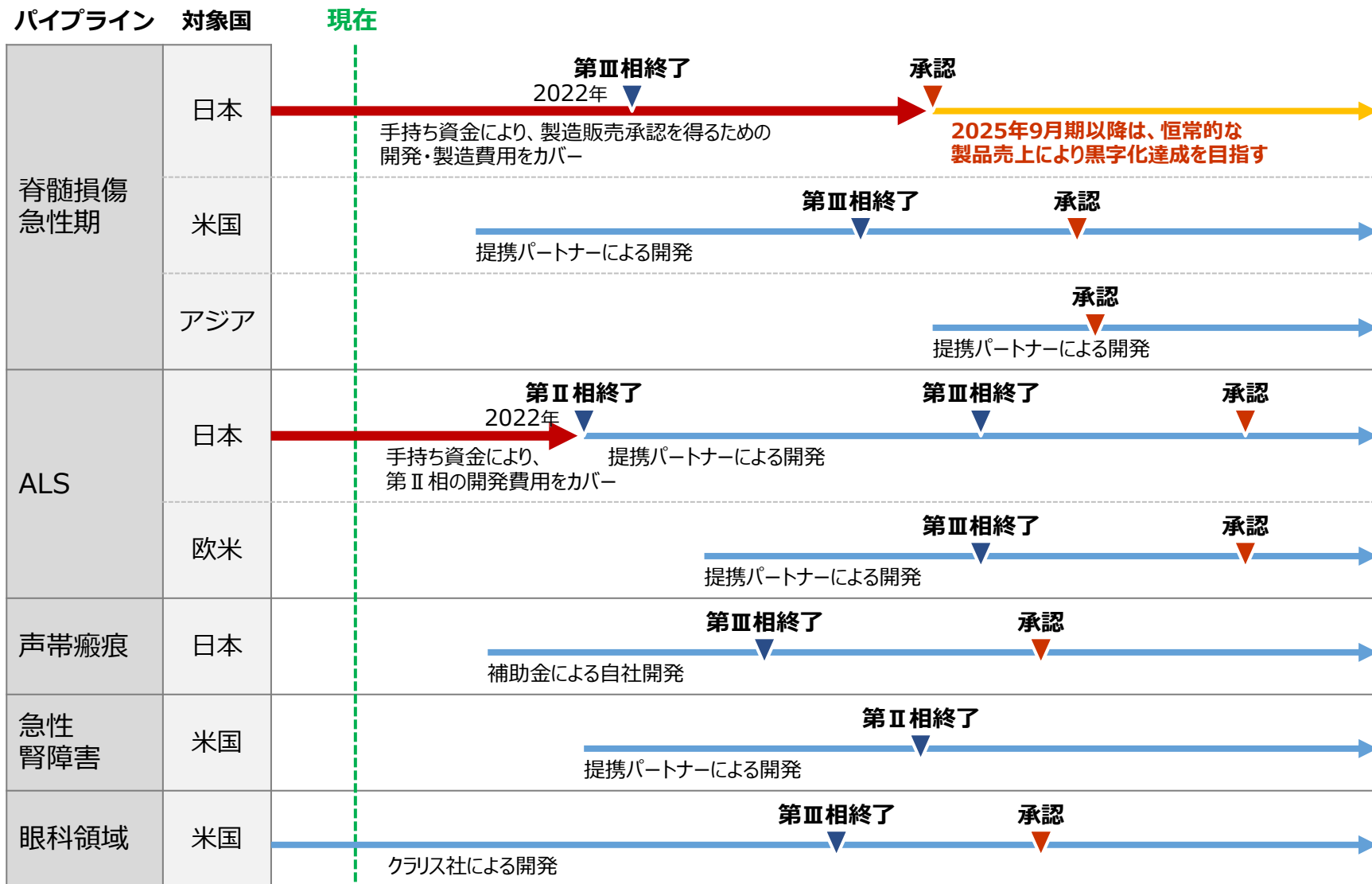
※ 時価総額は2021年5月25日時点

HGF関連創薬シーズの比較

	HGFタンパク質	HGF遺伝子	HGFアゴニスト
モダリティ	組換えタンパク質	遺伝子 (プラスミドDNA)	化合物、ペプチド、抗体断片など
分子量	大きい (分子量：約8.5万) ※抗体の分子量は約16万	非常に大きい (分子量：数百万)	低分子～中分子 (分子量：数百～数万)
作用機序	単独で作用可、直接的	HGF遺伝子を投与し、HGFタンパク質を体内で作らせる	HGFの類似作用、増強作用など
製造コスト	比較的高価	比較的安価	比較的安価
特徴	<ul style="list-style-type: none"> ● HGFのマルチな活性を全て発揮する ● 投与直後から作用する ● 投与量の調整が可能 ● これまでの臨床試験で重篤な副作用がない 	<ul style="list-style-type: none"> ● 1回の投与で持続的にHGFを作る ● 投与後、HGFタンパク質が作られるまで時間が必要 ● HGFタンパク質の量は調整できない 	<ul style="list-style-type: none"> ● HGFのマルチな活性をフルに発揮できているか不明 ● オフターゲット効果の有無が不明

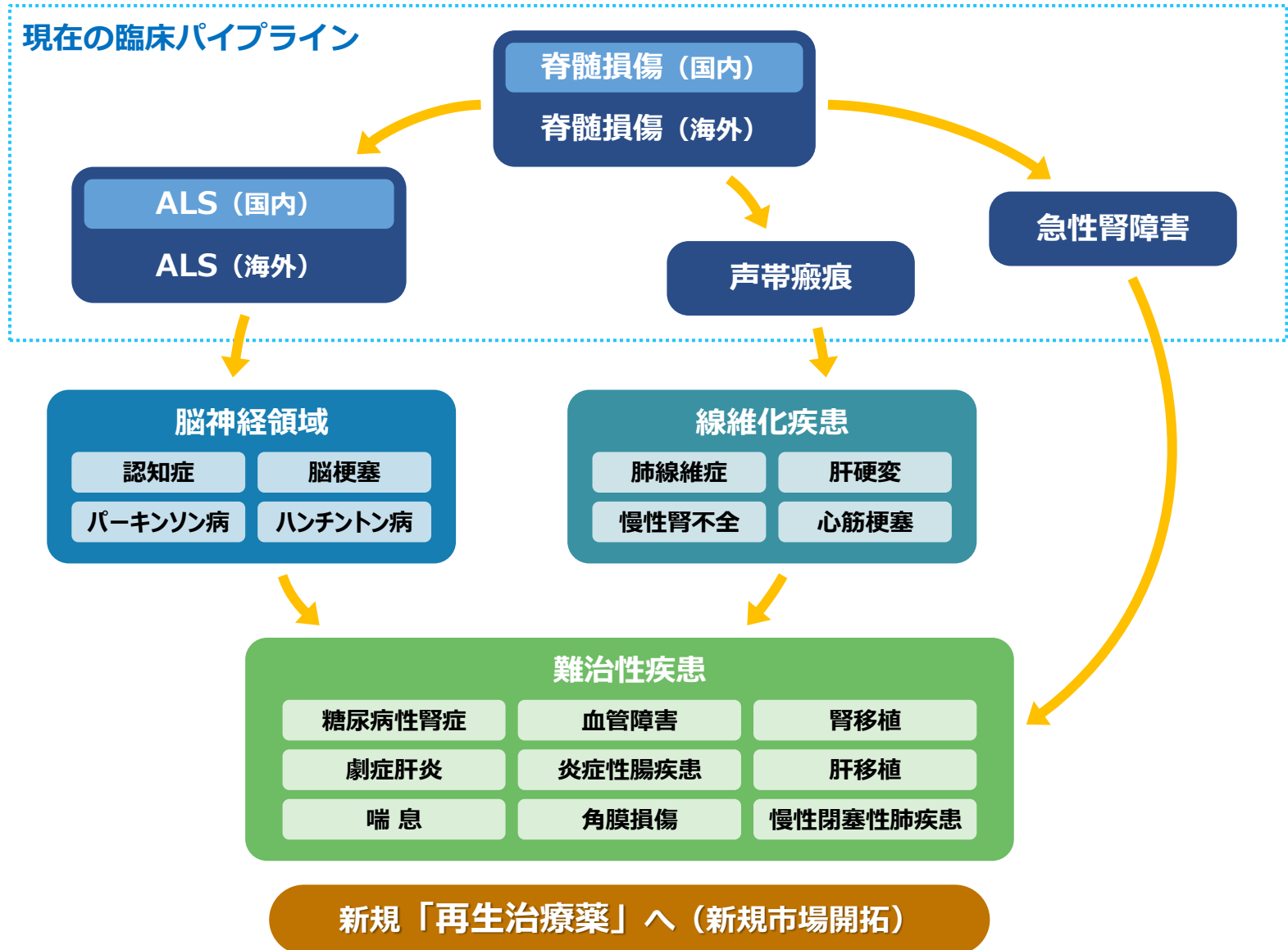
今後の成長戦略

クリングルファーマの成長戦略*



* 全体として予定であり、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。

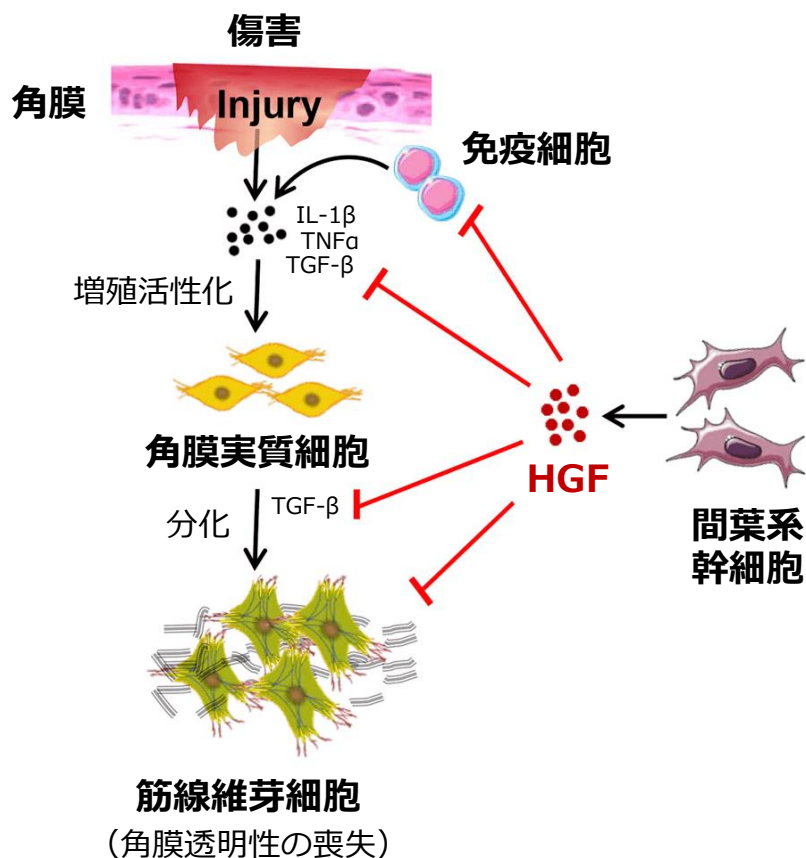
HGF再生治療薬の適応拡大の可能性



米国ハーバード大学のグループが眼科疾患動物モデルでの治療効果を確認



クラリス・バイオセラピューティクス社設立 当社にコンタクト



Mittal et al, Stem Cell Reports 2016.

- License and Supply Agreement (2020年4月13日発効)
- 当社はクラリス社に、HGF原薬の情報、原薬供給を眼科領域に限定して独占的に許諾
- **2021年5月** クラリス社がIND申請
米国において眼科疾患を対象とする第 I / II 相試験を開始するための新薬治験開始申請
- 当社は、クラリス社の開発品目に関する日本におけるライセンス契約の優先交渉権を保有

2021年9月期第2四半期決算概況

年月	トピックス
2020年12月	東京証券取引所マザーズに上場（証券コード：4884）
2021年2月	脊髄損傷に対するHGF治療を応用した複合的研究に関する共同研究契約を締結 慶應義塾大学と新たな共同研究を開始。HGFと同大学が保有するiPS細胞由来神経前駆細胞の移植技術などを組み合わせて、HGFのより効果的な投与方法や投与のタイミングを検討する。
2021年3月	脊髄損傷急性期を対象とする第Ⅲ相試験の治験実施医療機関追加 治験実施医療機関として、急性期病院と回復期病院を新たに追加。 両病院を連携した治療体制においてもHGFによる治療が実施できることを確認する。
2021年4月	希少疾病用医薬品試験研究助成金の2020年度交付額決定 脊髄損傷急性期を対象とするHGFタンパク質の開発費用に対する助成金の交付額（2020年度）が、8200万円に確定した。

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2021年9月期 第2四半期 (実績)	内 容	2021年9月期 通期業績 (予想)
売上	117	● クラリス社への原薬供給	206
売上原価	—		44
販売管理費	287		1,198
研究開発費	191	● 脊髄損傷及びALSの治験費用 ● 製造開発に係る各種試験費用	998
営業損失	△169		△1,037
営業外損益	△22		21
経常損失	△191		△1,015
法人税等	0		1
当期純損失	△192		△1,017

貸借対照表の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2020年9月期 期末	2021年9月期 第2四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	2,349	2,752	403	● 現預金及びたな卸資産の増加
現預金	2,102	2,430	328	● 上場による資金調達
固定資産	1	1	—	
資産合計	2,350	2,753	403	
流動負債	159	140	△19	
固定負債	2	2	0	
負債合計	161	142	△19	
純資産合計	2,188	2,611	422	● 上場に伴う新株発行
負債純資産合計	2,350	2,753	403	
自己資本比率	93.1%	94.8%		

2021年6月10日（木）開催予定の臨時株主総会の付議議案

- 内容：資本金及び資本準備金の額の減少並びに剰余金の処分
- 目的：財務体質の健全化を図り、株主還元を含む今後の資本政策の柔軟性を高めるとともに、税負担の軽減を図るため

B/S

(単位：百万円)

(資産)	(負債)
現金預金	未払い金
未収金	前受金
固定資産	⋮
⋮	
	(純資産)
	資本金
	資本準備金
	その他資本剰余金
	利益剰余金
	⋮

(3月末時点の内訳)	
資本金	607
資本準備金	2,397
その他資本剰余金	564
利益剰余金	
繰越利益	▲765
四半期純損益	▲192
純資産	計 2,611

557

207

765

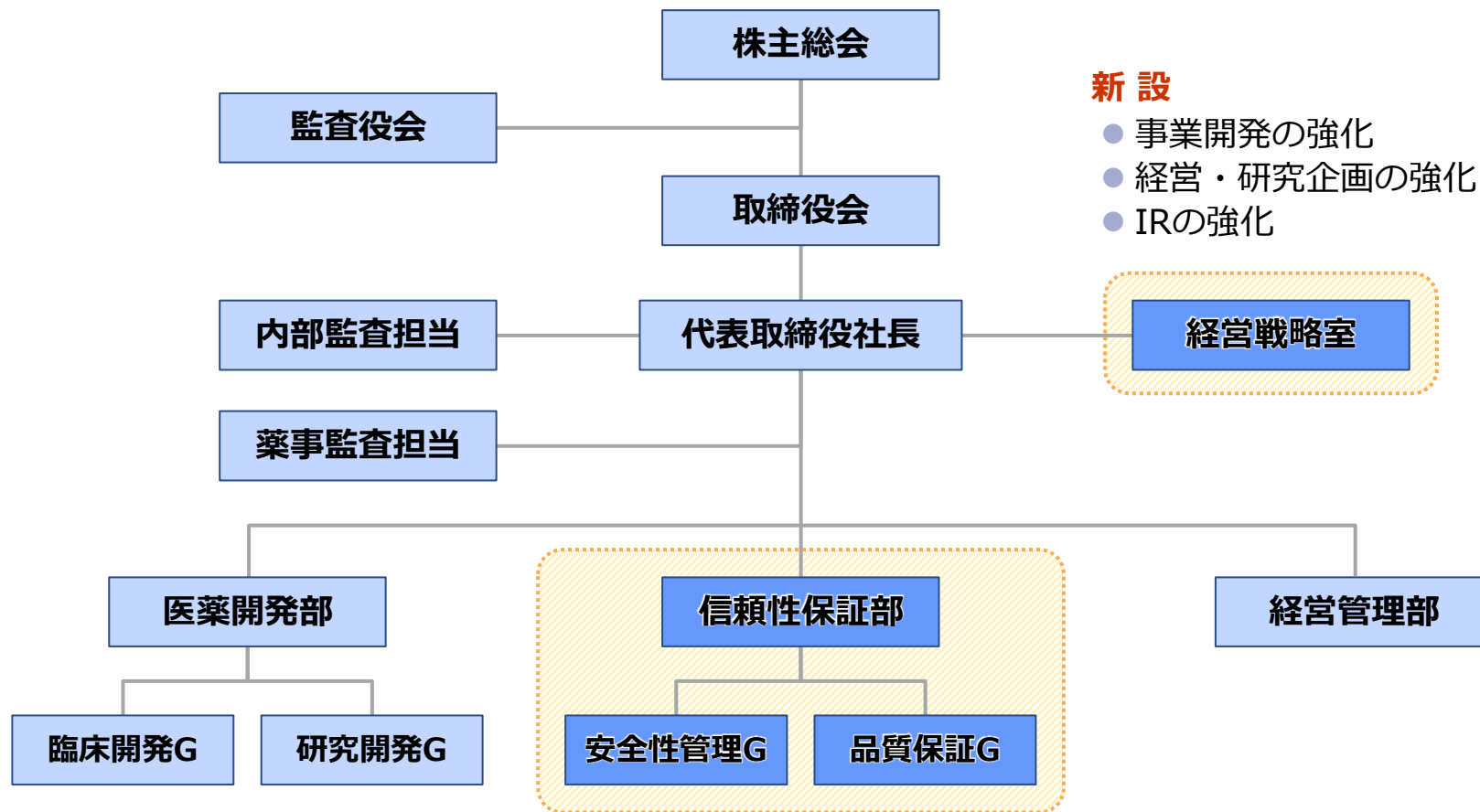
発行済株式総数及び純資産額は変わりません



(減資後の内訳)	
資本金	50
資本準備金	2,189
その他資本剰余金	564
利益剰余金	
繰越利益	—
四半期純損益	▲192
純資産	計 2,611

株主の皆様の所有株式数や1株当たり純資産額(604.35円)に影響はありません

2021年6月からの組織変更について



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

- 慶應義塾大学
- 東北大学
- 大阪大学 etc.

再生創薬シーズ
HGF

HGF医薬品



參考資料

増殖因子とは

増殖因子 (= 成長因子)

- からだの中で特定の細胞の増殖を促すタンパク質
- 増殖以外の機能をもつこともある

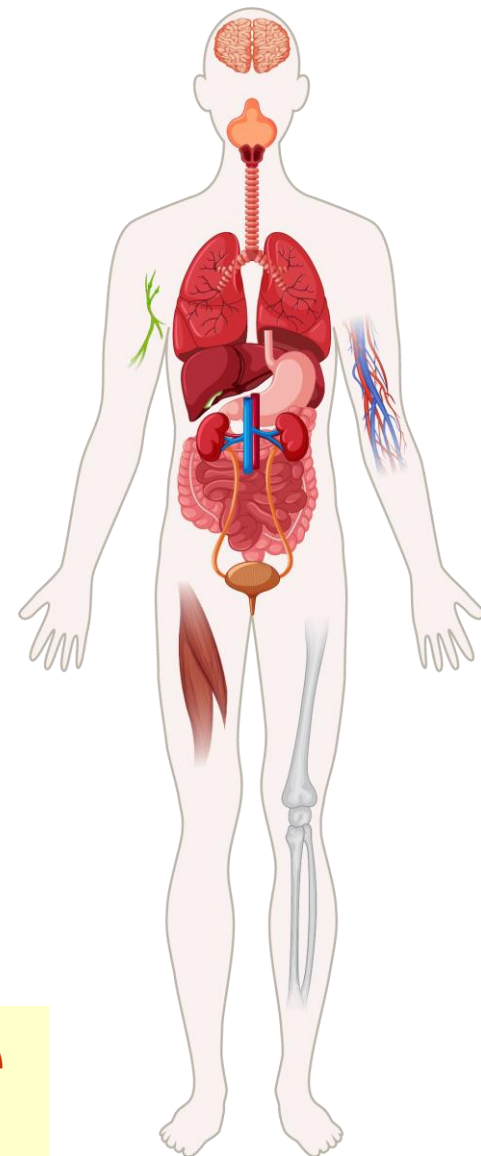
代表的な増殖因子

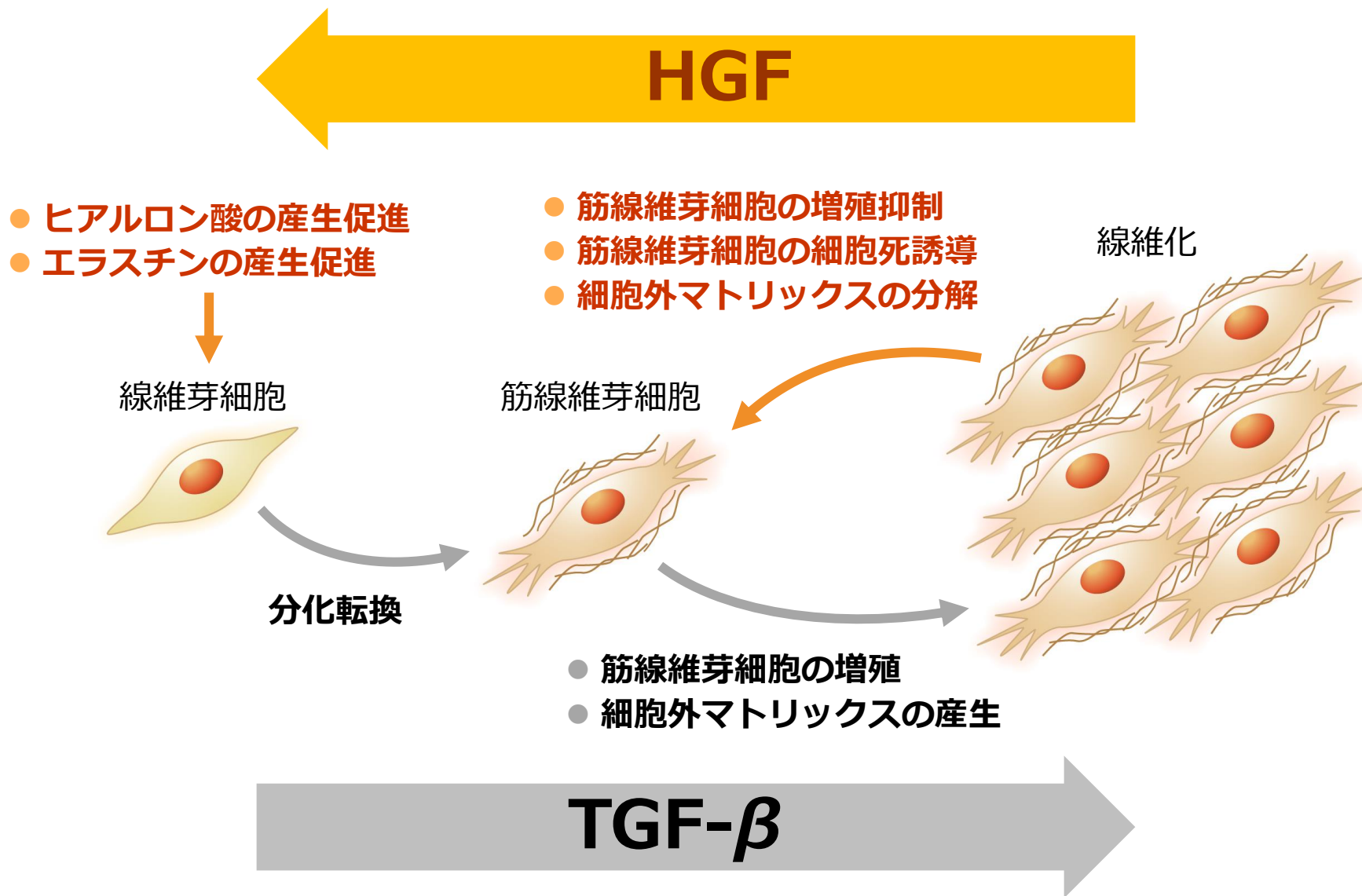
- NGF: Nerve Growth Factor (神経成長因子)
 - EGF: Epidermal Growth Factor (上皮細胞増殖因子)
 - BMP: Bone Morphogenetic Protein (骨形成因子)
 - HGF: Hepatocyte Growth Factor (肝細胞増殖因子)
- 他、10種以上

医薬品化された増殖因子

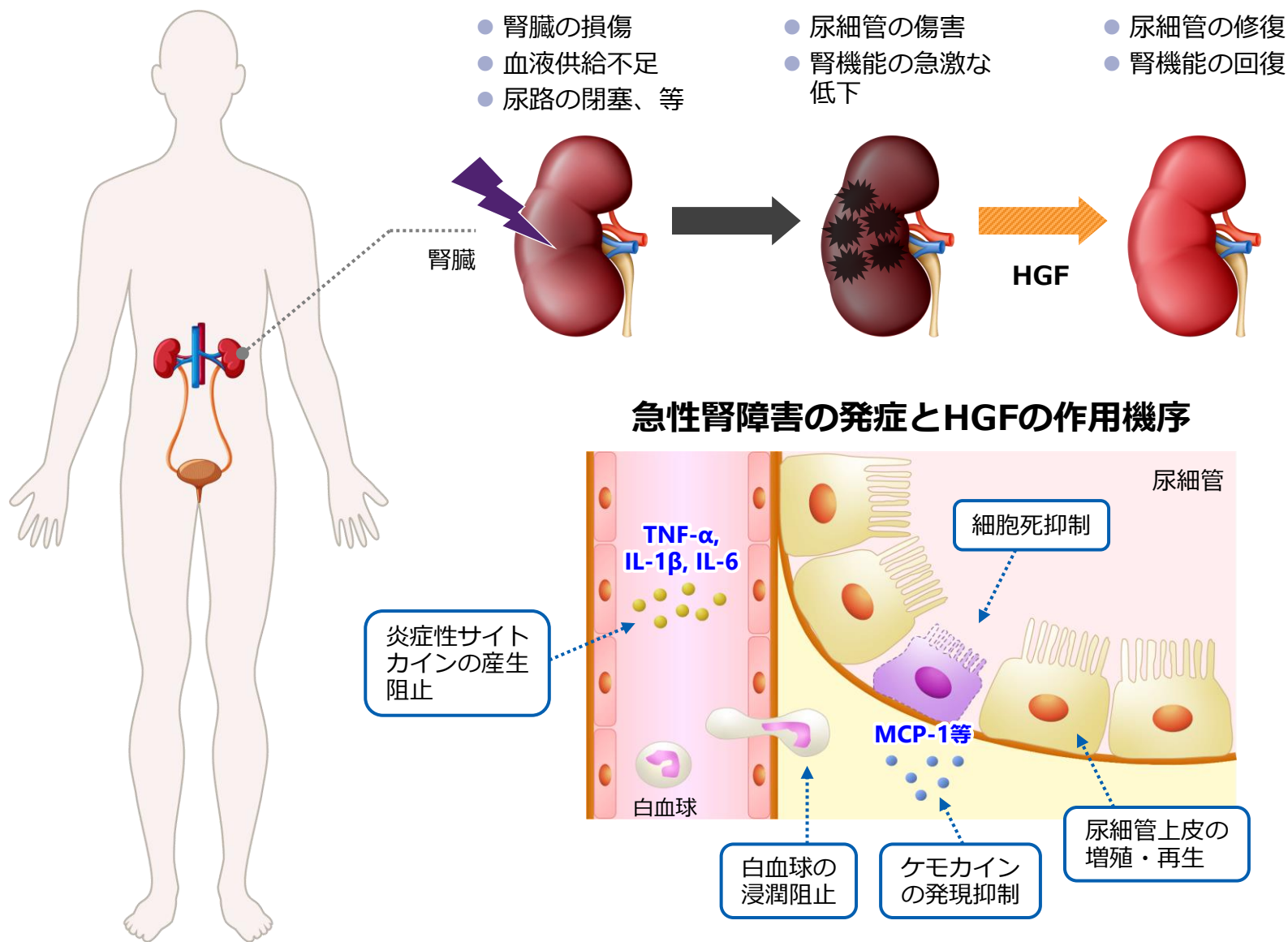
- bFGF (塩基性線維芽細胞増殖因子)
 - 対象疾患：潰瘍、褥瘡、歯肉炎、鼓膜穿孔 (日本)
- EGF (上皮細胞増殖因子)
 - 対象疾患：潰瘍、脱毛症 (一部アジア)
- PDGF (血小板由来増殖因子)
 - 対象疾患：潰瘍 (米国)

HGFの特徴： 結合する受容体は1つ ⇒ 代替するものがない
(他の増殖因子は受容体が複数)





HGFによる急性腎障害治療の根拠



ページ	用語	意味・内容
5	第 I 相試験	少数の健常人を対象に、安全性（人体に副作用は無いかな）・薬物動態（被験薬が体にどのように吸収・分布・代謝・排泄されていくか）を確認する試験。希少疾病においては、患者を対象に第 I 相試験と第 II 相試験をあわせて第 I / II 相試験として行うこともある。
5	第 II 相試験	比較的少数の患者に対して第 I 相試験で安全性が確認された用量の範囲で被験薬が投与され、安全性、有効性、用法、用量を探索する試験。
5	第 III 相試験	多数の患者に対して被験薬を投与し、第 II 相試験の結果で得られた有効性、用法、用量を検証する試験。
5	希少疾病用医薬品	患者数が少なく（日本においては5万人未満）、治療法が確立していない難病に対する医薬品のこと。
5	ファースト・イン・クラス	医薬品のうち、新規性や有用性が高かったり、これまでの治療体系を大きく変えたりするような画期的な医薬品のこと。これまでに無かった化学構造や治療コンセプトであることが多く、一般に開発難易度は高い。
11	POC	新薬候補物質の有用性・効果が、患者を対象とする臨床試験によって確認され、治療薬になり得るといふ仮説（コンセプト）が実証されること。
11	非盲検/ オープンラベル	医師及び患者の両方がどのような治療を受けているかがわかっている状態で行う試験。
11	プラセボ	色、重さ、味及び匂いなど物理的特性を可能な限り被験薬（試験実施の目的となる、開発中の未承認有効成分を含む製剤）に似せ、かつ薬効成分を含まない「偽薬」のこと。
11	二重盲検比較試験	医師及び患者の両者がプラセボか被験薬かがわからない状態で行う試験。試験終了後に開鍵し、被験薬投与群とプラセボ群の間で有効性や安全性を比較する。
11	用量漸増試験	被験薬の用量を段階的に増やして投与する試験。

ページ	用語	意味・内容
14	改良Frankel分類	四肢麻痺の機能障害を5段階に分類したFrankel分類を、さらに予後の違いから細分化したものの。完全麻痺のAから正常のEまで11段階に分類される。
14	ASIA motor Score	米国脊髄障害学会による運動機能を評価する指標で、上肢（50点）と下肢（50点）の運動機能スコアの合計（100点）で構成される。脊髄の各部位に関連した主要筋肉が動くかどうかを点数化したもの。実施が容易で再現性が高いこと等を理由に広く普及している脊髄損傷急性期の評価項目。
15	AIS	ASIA impairment scale、米国脊髄障害学会が定めた脊髄損傷の機能障害尺度。最も重度のA（完全麻痺）から正常のEまで5段階に分類される。
19	ALS重症度分類	厚生労働省特定疾患研究調査において定められたALSの重症度。軽度の1から重度の5まで5段階に分類される。
19	ALSFRS-Rスコア	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段階で点数化するもの。
25	アゴニスト	受容体に作用し、生物活性を示すもの。
27	オフターゲット効果	本来の目的ではない作用や効果。
31 41	TGF-β	Transforming Growth Factor-β、当初、線維芽細胞の形質転換を促進する因子として発見された生体内タンパク質。組織の線維化を促進する因子としても知られる。