



2021年9月期 業績予想の修正及び第3四半期決算について

2021年8月16日

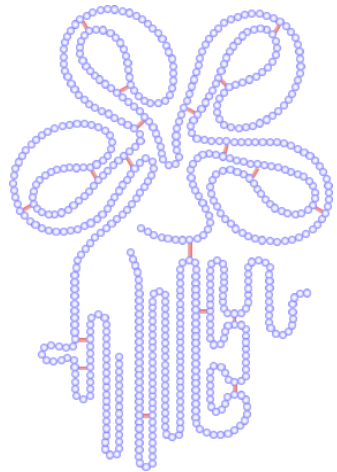
クリングルファーマ株式会社
(東証マザーズ：4884)

- 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**
 - 当社の特徴
 - ビジネスモデル
- **開発パイプラインの進捗状況**
 - 脊髄損傷急性期
 - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
 - 今後の成長戦略
- **2021年9月期業績予想の修正及び第3四半期決算概況**
 - 2021年9月期第3四半期のトピックス
 - 業績予想の修正
 - 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

- 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・臓器の「保護」、「再生」、「修復」を担う



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	50百万円 (2021年7月末時点)
役員数	取締役6名、監査役3名
従業員数	12名 (2021年7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 プラットフォーム

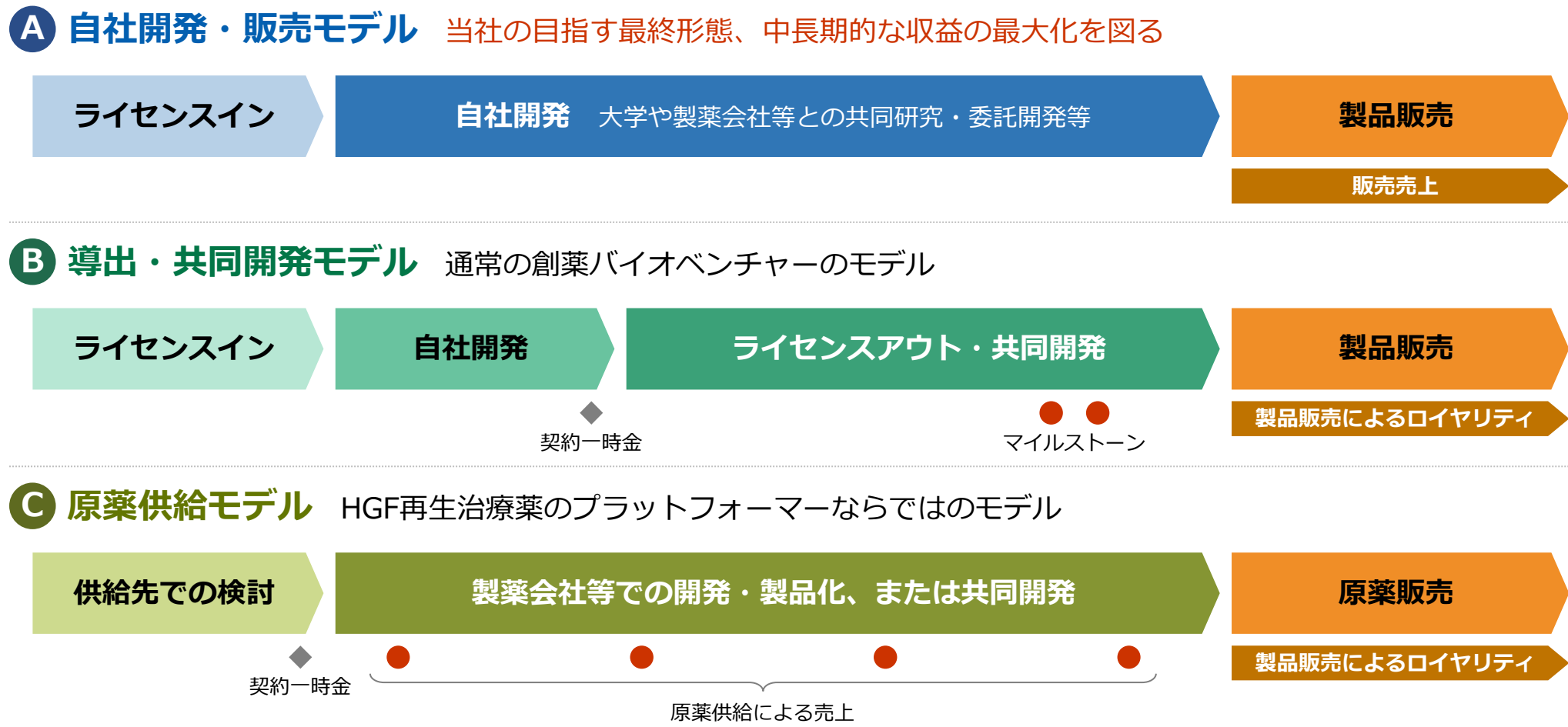
- 組換えHGFタンパク質：ファースト・イン・クラスの開発シーズ
- 医薬品としての製造・量産体制を確立
- 多くの疾患への適応拡大による成長可能性
 - 米国クラリス社への原薬供給による眼科領域での開発

* 指定番号：(31薬)第442号

HGF再生治療薬のプラットフォーム：当社のビジネスモデル



当社の事業



開発パイプラインの進捗状況

開発パイプラインの概要

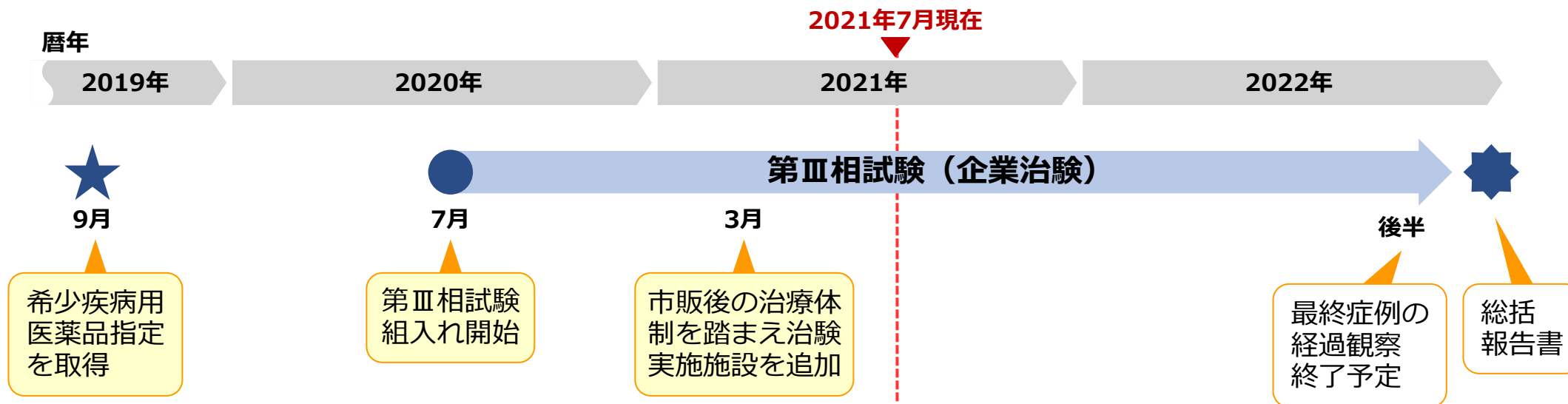
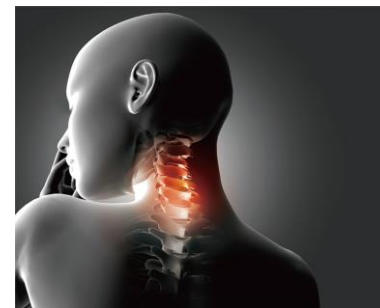
- 複数の対象疾患でHGFタンパク質の治験を推進
- **レイトステージのパイプライン** (第Ⅲ相：1件、第Ⅱ相：2件)
- 最も開発ステージの進んでいる**脊髄損傷急性期を対象とした医薬品開発に注力し、自社で薬事承認を得る**ことにリソースを集約

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			

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



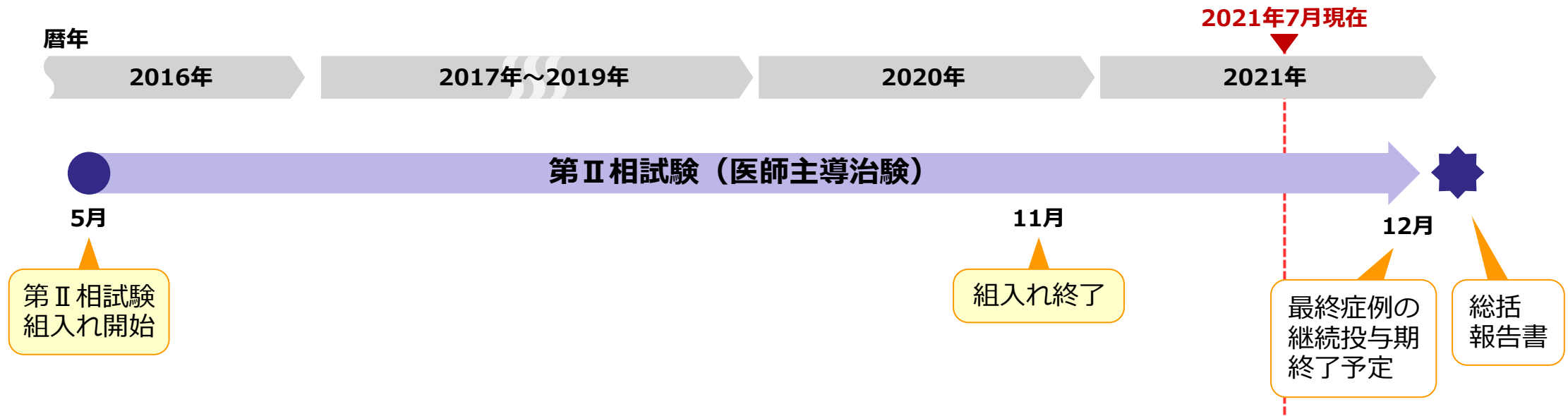
治験実施施設

- 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

ALS 第Ⅱ相試験（医師主導治験）

組入れ終了
投与継続中

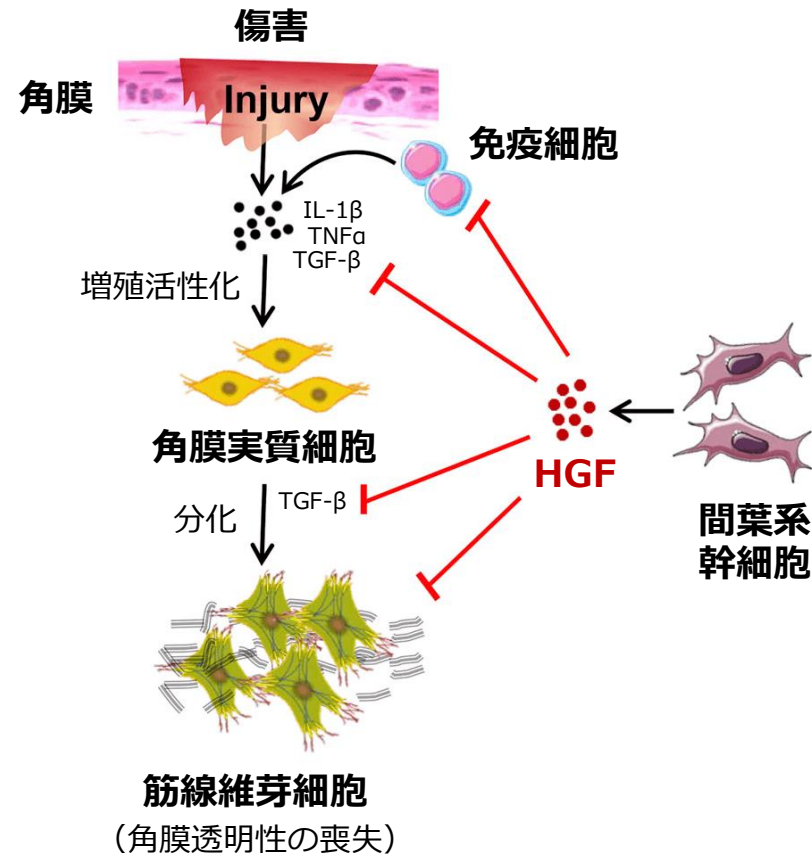
- 試験デザイン： プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験
- 目標症例数： 48症例（HGF投与群：32症例、プラセボ群：16症例）
- 対象患者： 20歳以上、70歳以下のALS患者（重症度分類が1または2）
- 用法： 脊髄腔内にカテーテルを挿入し、皮下ポートを通じて治験薬を脊髄腔内に投与する
1回投与/2週、24週間（二重盲検期）+ 24週間（継続投与期）
- 主要評価項目： 二重盲検期24週のALSFRS-Rスコア変化量の群間差
- 実施施設： 東北大学病院、大阪大学医学部附属病院



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



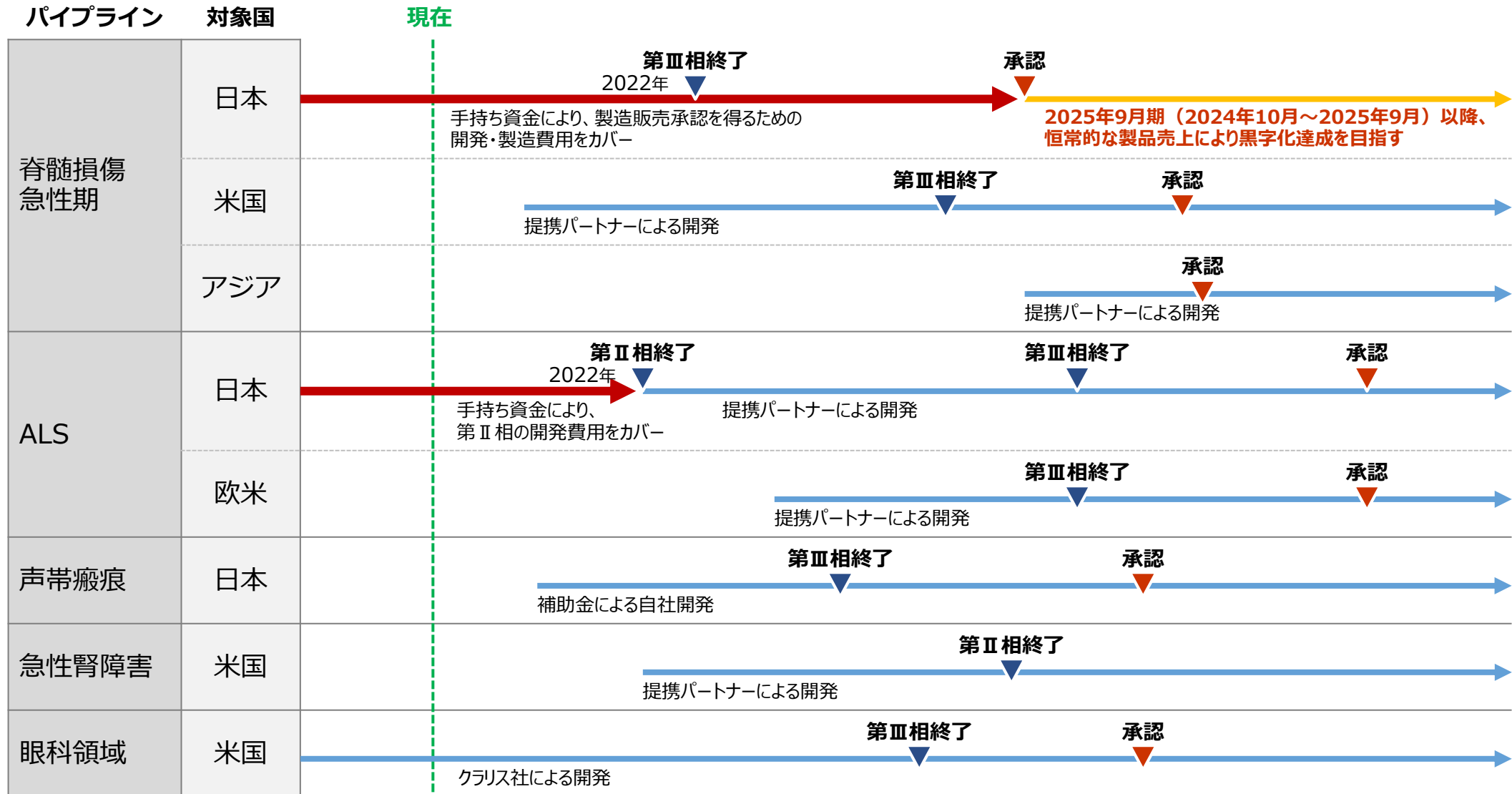
クラリス・バイオセラピューティクス社設立 当社にコンタクト



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

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。

2021年9月期 業績予想の修正及び第3四半期決算概況

2021年9月期第3四半期のトピックス

年月	トピックス
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。
2021年5月	クラリス・バイオセラピューティクス社が米国で IND 申請 提携先であるクラリス社が、眼科疾患を対象とする第 I / II 相試験を開始するため、 FDA (米国食品医薬品局) に新薬治験開始申請を行った。
2021年6月	社内体制の整備 (信頼性保証部及び経営戦略室を新設) 製造販売業許可を得るための組織体制構築、事業開発・IR等の強化を図る。
2021年6月	臨時株主総会において減資の決議 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。
2021年6月	脊髄損傷急性期の第 I / II 相試験に関する学会発表が Best Clinical Research Award を受賞 アジア太平洋脊椎外科学会とアジア太平洋小児整形外科学会の第 13 回合同学会にお いて、APSS CONGRESS Best Clinical Research Award (APSS 会議最優秀臨床研 究賞) を受賞した。

2021年9月期業績予想の修正

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2021年9月期 通期業績 (前回予想) 2020年12月28日	2021年9月期 通期業績 (今回修正予想) 2021年8月13日	増 減	主な増減理由
売上	206	277	71	● クラリス社へのHGF原薬供給量の増加
売上原価	44	73	29	
販売管理費	1,198	592	△606	● 研究開発費の減少
研究開発費	998	409	△588	● HGF製造開発に関する試験の遅延及び試験項目のスリム化
営業損失	△1,037	△388	648	
営業外損益	21	59	38	
経常損失	△1,015	△328	686	
法人税等	1	1	—	
当期純損失	△1,017	△330	686	

脊髄損傷急性期での承認申請スケジュールには影響なし

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2021年9月期 第3四半期 (実績)	内 容	2021年9月期 通期業績 (修正予想)
売上	117	● クラリス社への原薬供給	277
売上原価	—		73
販売管理費	422		592
研究開発費	289	● 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	409
営業損失	△304		△388
営業外損益	59		59
経常損失	△245		△328
法人税等	1		1
当期純損失	△246		△330

2021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)

	2020年9月期 期末	2021年9月期 第3四半期末	増 減	主な増減理由
流動資産	2,349	2,618	269	● 現預金及びたな卸資産の増加
現預金	2,102	2,229	126	● 上場に伴う資金調達による増加 ● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	1	—	
資産合計	2,350	2,619	269	
流動負債	159	59	△99	
固定負債	2	2	0	
負債合計	161	61	△99	
純資産合計	2,188	2,557	368	● 上場に伴う新株発行による増加 ● 当期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,350	2,619	269	
自己資本比率	93.1%	97.6%		

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



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/>