



個人投資家向けオンライン会社説明会

2021年8月24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。

- **HGF（肝細胞増殖因子）とは**
- **会社概要**
- **成長戦略**
- **主な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）
- **2021年9月期業績予想の修正及び第3四半期決算概況**
- **質疑応答**

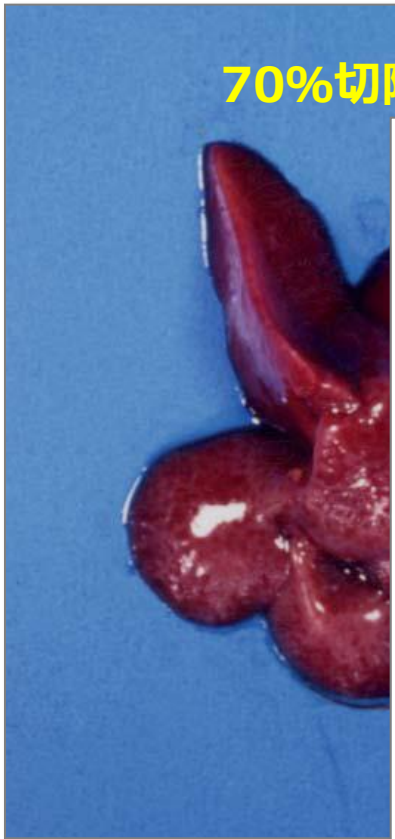
HGF（肝細胞増殖因子）とは

ギリシャ神話 -ゼウスとプロメテウス-



肝細胞に対する増殖因子としてのHGFの発見

HGF: Hepatocyte Growth Factor, 肝細胞増殖因子



70%切除直後 ラット肝臓 1週間後

Vol. 122, No. 3, 1984
August 16, 1984

PARTIAL PURIFICATION OF HEPATOCYTE GROWTH FACTOR FROM RAT LIVER

Toshikazu Nakamura*, Tsutomu Nishizawa†,
Mitchio Hagiya†, Tatsuya Seki†, Manabu Shimonishi†,
Atsushi Sugimura†, Kosuke Tashiro* & Sin Shimizu†

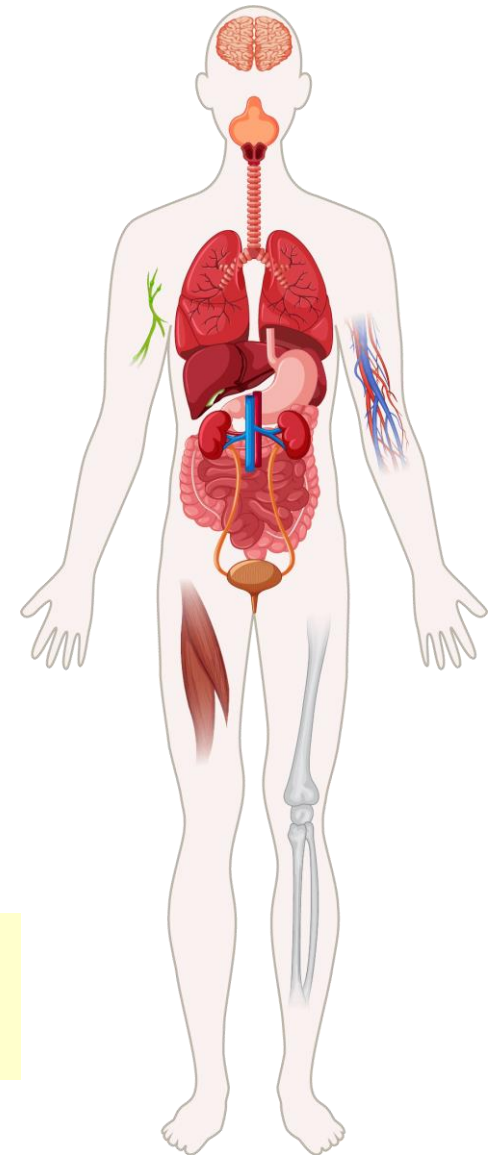
Molecular cloning and expression of human hepatocyte growth factor

NATURE · VOL 342 · 23 NOVEMBER 1989

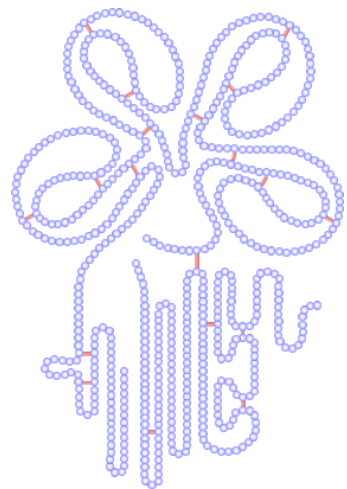
* Department of Biology, Faculty of Science, Kyushu University, Fukuoka 812, Japan
† Pharmaceuticals Research Center, Toyobo Co.Ltd, Ohtsu 520-02, Japan

- **血糖調節**
 - インスリン
- **成長・再生・修復を支える（増殖因子）**
 - インスリン様増殖因子（IGF）
 - 骨形成因子（BMP）
 - 線維芽細胞増殖因子（FGF）
 - 血小板由来増殖因子（PDGF）
 - 肝細胞増殖因子（HGF）
- **造血・免疫機能を支える（サイトカイン）**
 - インターフェロン
 - エリスロポイエチン
 - 顆粒球コロニー刺激因子（G-CSF）

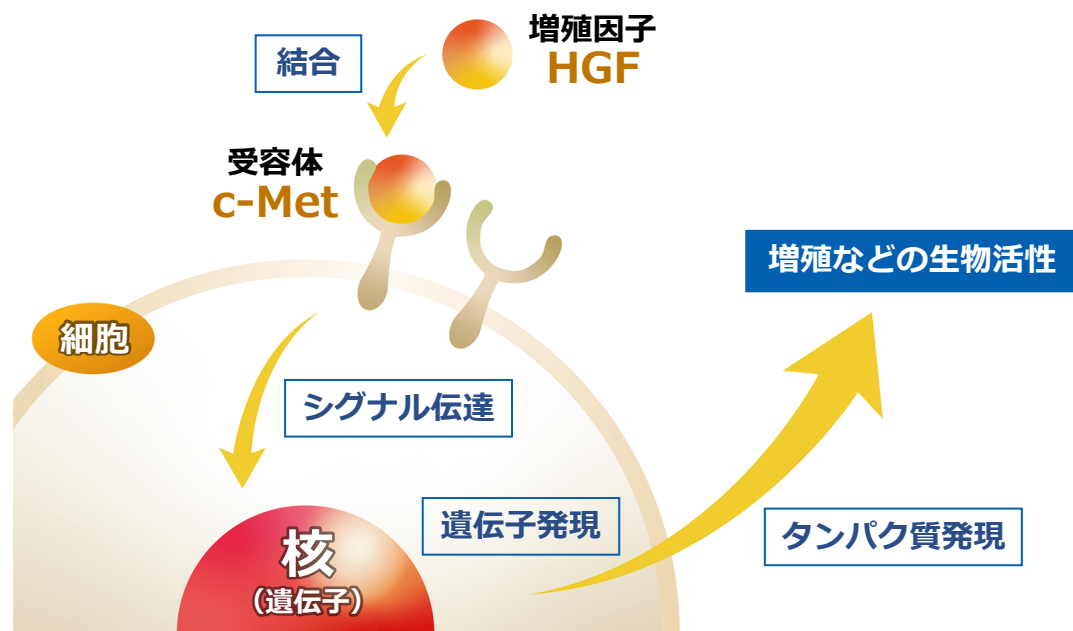
生理活性タンパク質の多くが通常の医薬品（化合物による医薬）
で代替できない医薬品として継続的に使用されている



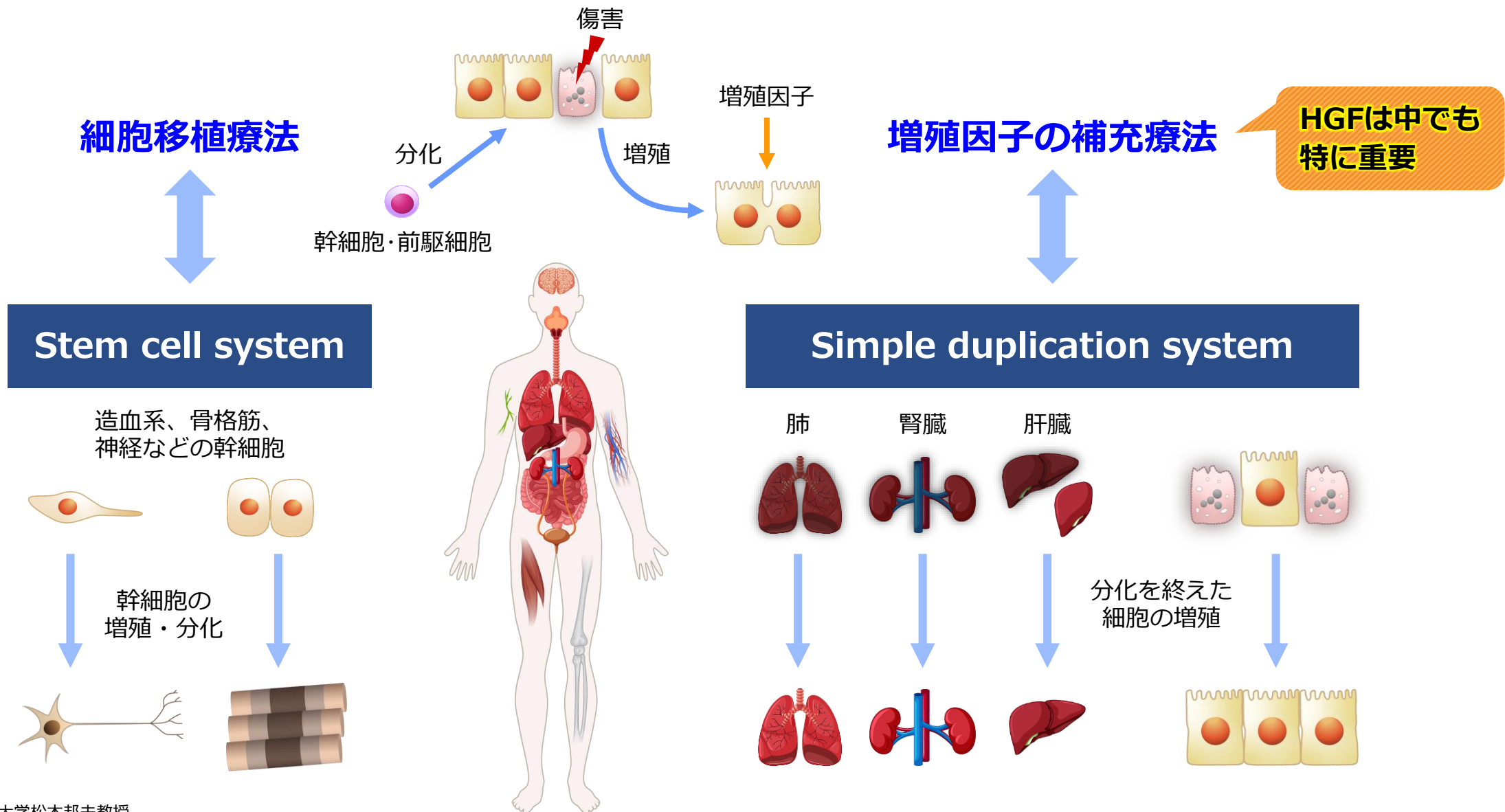
HGF（肝細胞増殖因子） ～難治性疾患の再生治療薬～



- 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」



再生医療 - 生体の再生を支える2つのシステム -

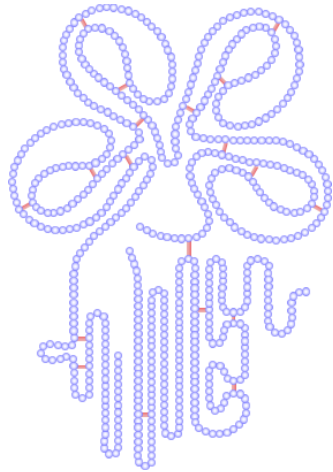


出典: 金沢大学松本邦夫教授

会社概要

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	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	11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))

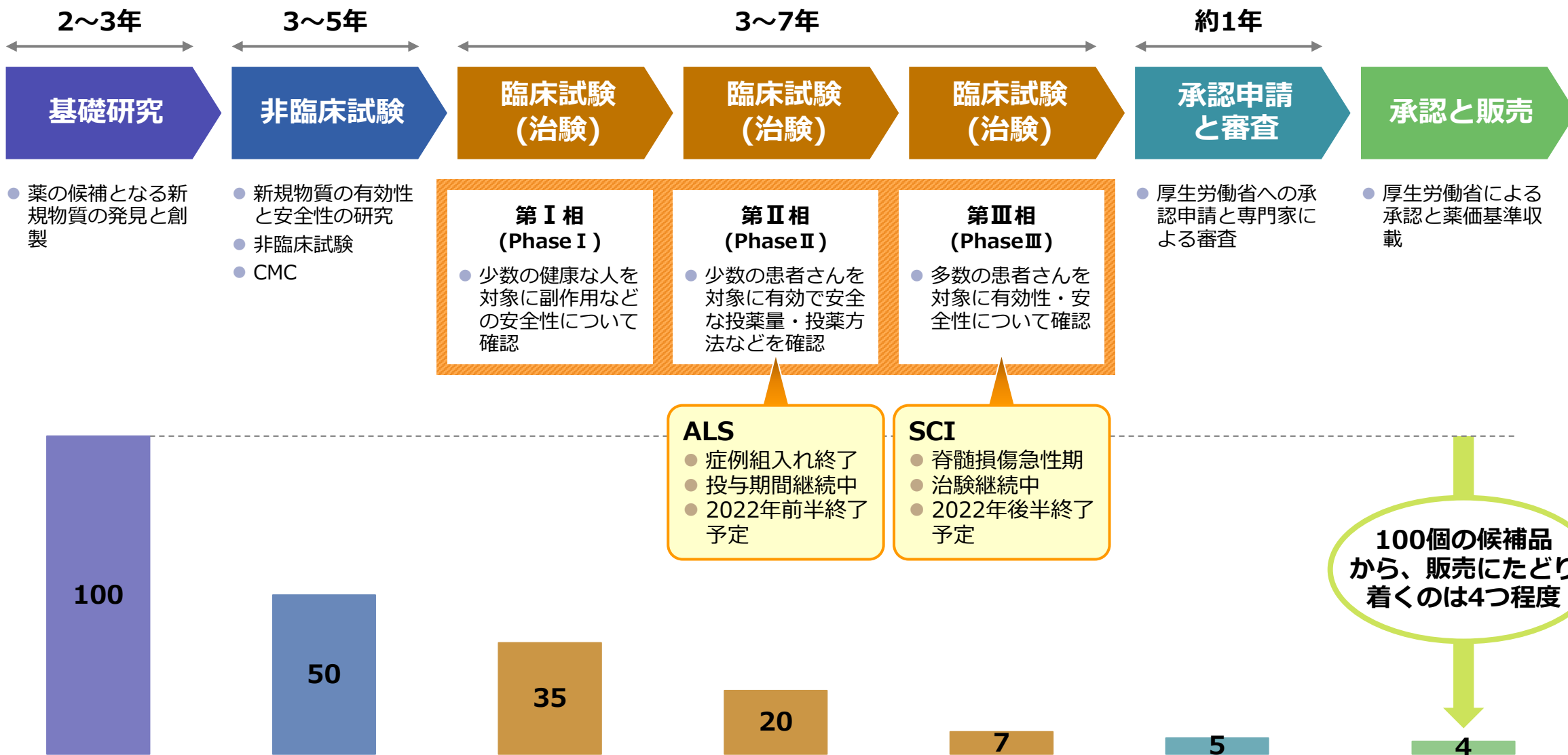


HGF再生治療薬の プラットフォーム

- 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

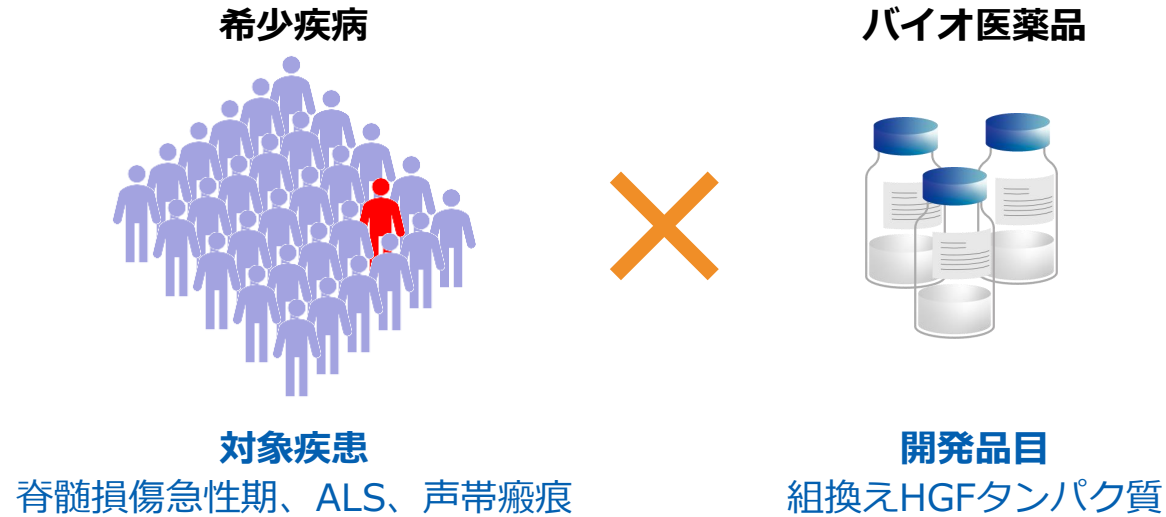
* 指定番号：(31薬)第442号

新薬研究開発の主なプロセス



出典: How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge, Steven M. Paul et. al., Nature Reviews Drug Discovery 9, 203-214 (March 2010) より当社作成

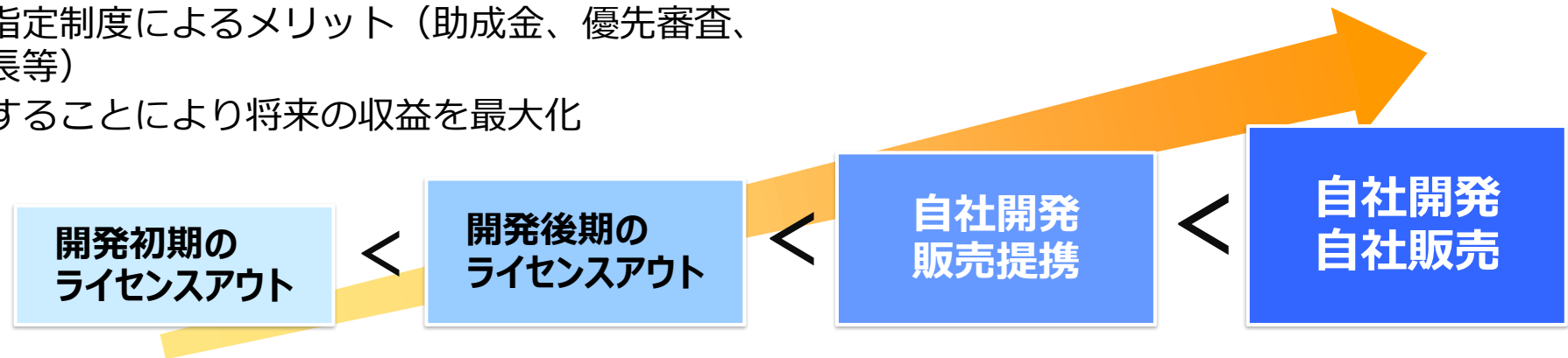
HGF再生治療薬のプラットフォーム：希少疾病を対象とする戦略



- 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

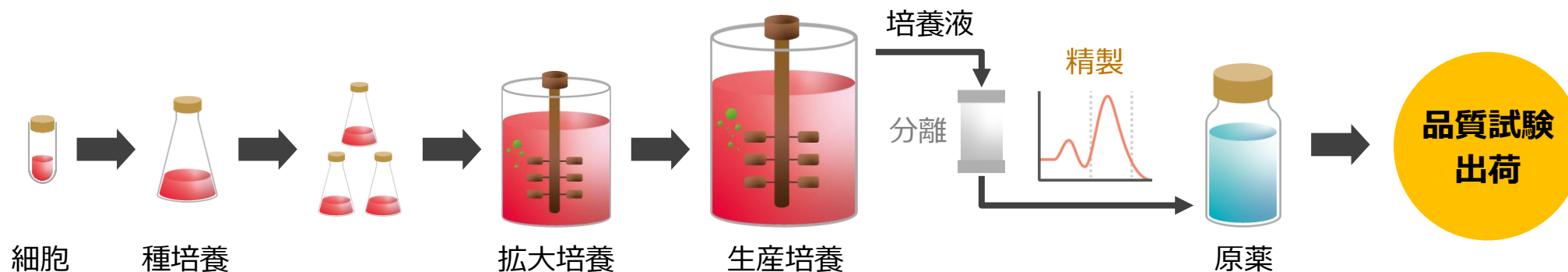
- 小規模な臨床試験による開発が可能 = 自社開発が可能
- 希少疾病医薬品指定制度によるメリット（助成金、優先審査、再審査期間の延長等）
- 自社開発を推進することにより将来の収益を最大化



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

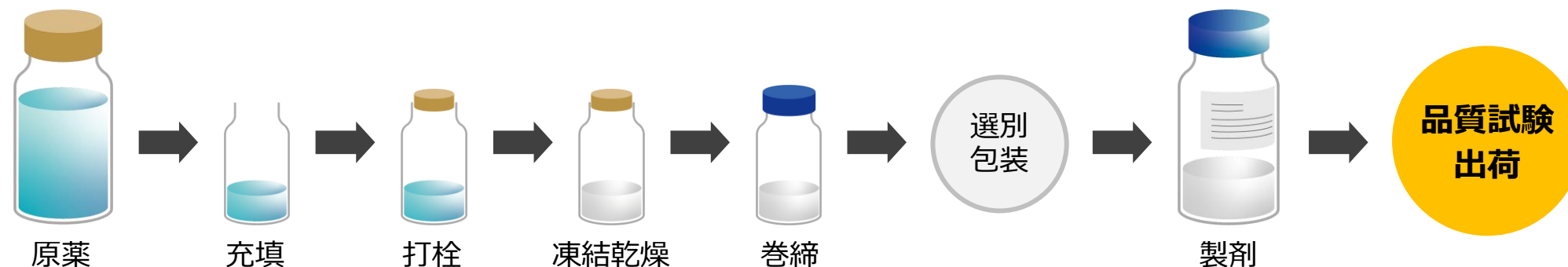
原薬製造

- 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

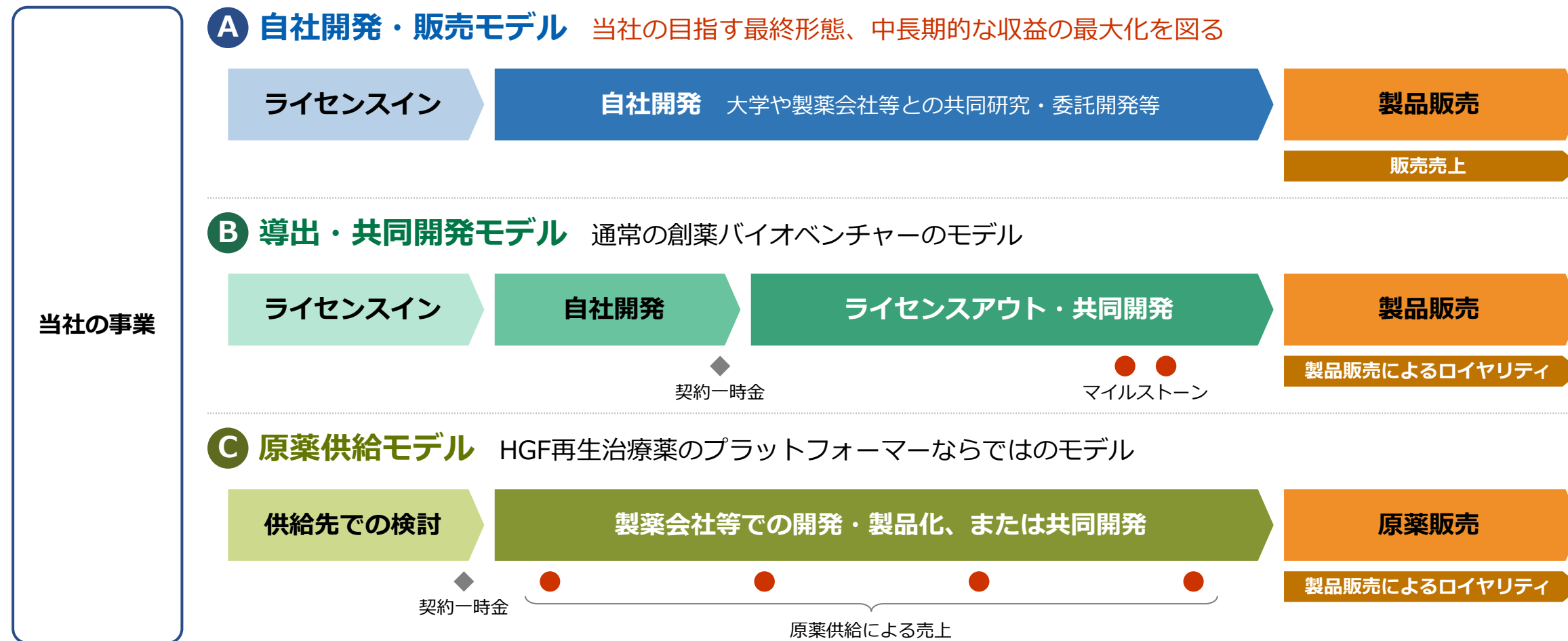


製剤製造

- 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



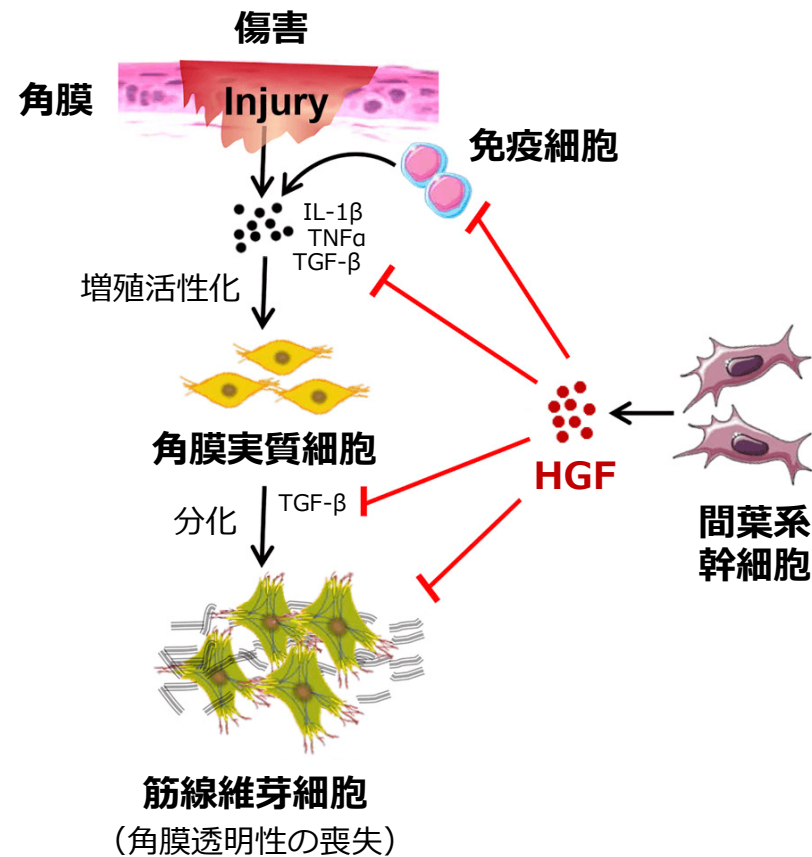
HGF再生治療薬のプラットフォーム：当社のビジネスモデル



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

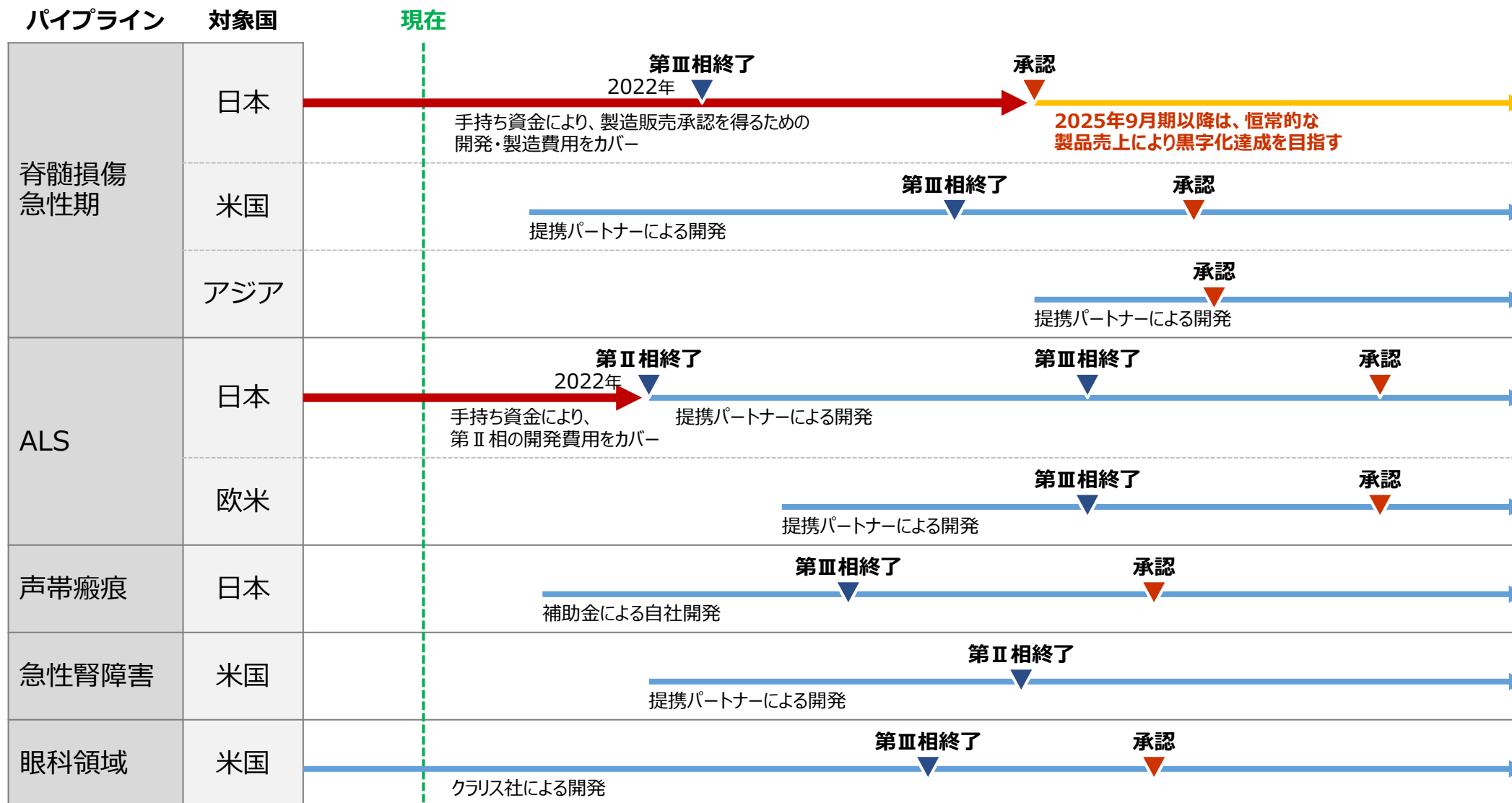
成長戦略

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			

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。

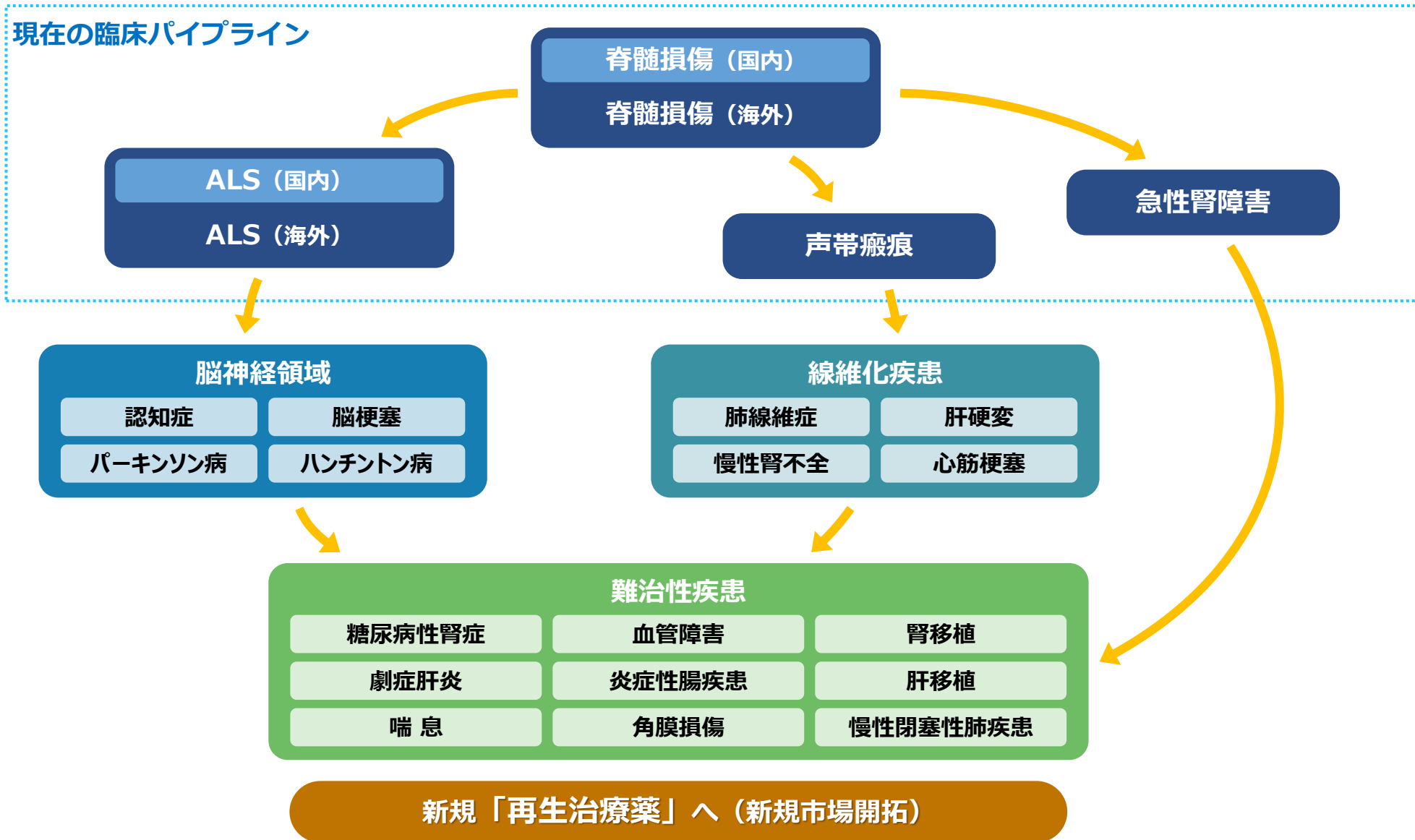
対象疾患	患者数*1		競合品	HGFタンパク質製剤 (KP-100IT) 市場規模*3
	日本	全世界*2		
脊髄損傷急性期	5,000人	60,000人	ステミラック、細胞治療など ※KP-100ITと併用可能	国内：～100億円 海外：～500億円
ALS	9,800人	85,000人	リルゾール、エダラボンなど ※KP-100ITと併用可能	国内：～200億円 海外：～1,000億円

*1 出典: Medscape Reference HP、難病情報センター HP、The National Spinal Cord Injury Association HP、DATAMONITOR社レポート、内科学第10版、公表論文等、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

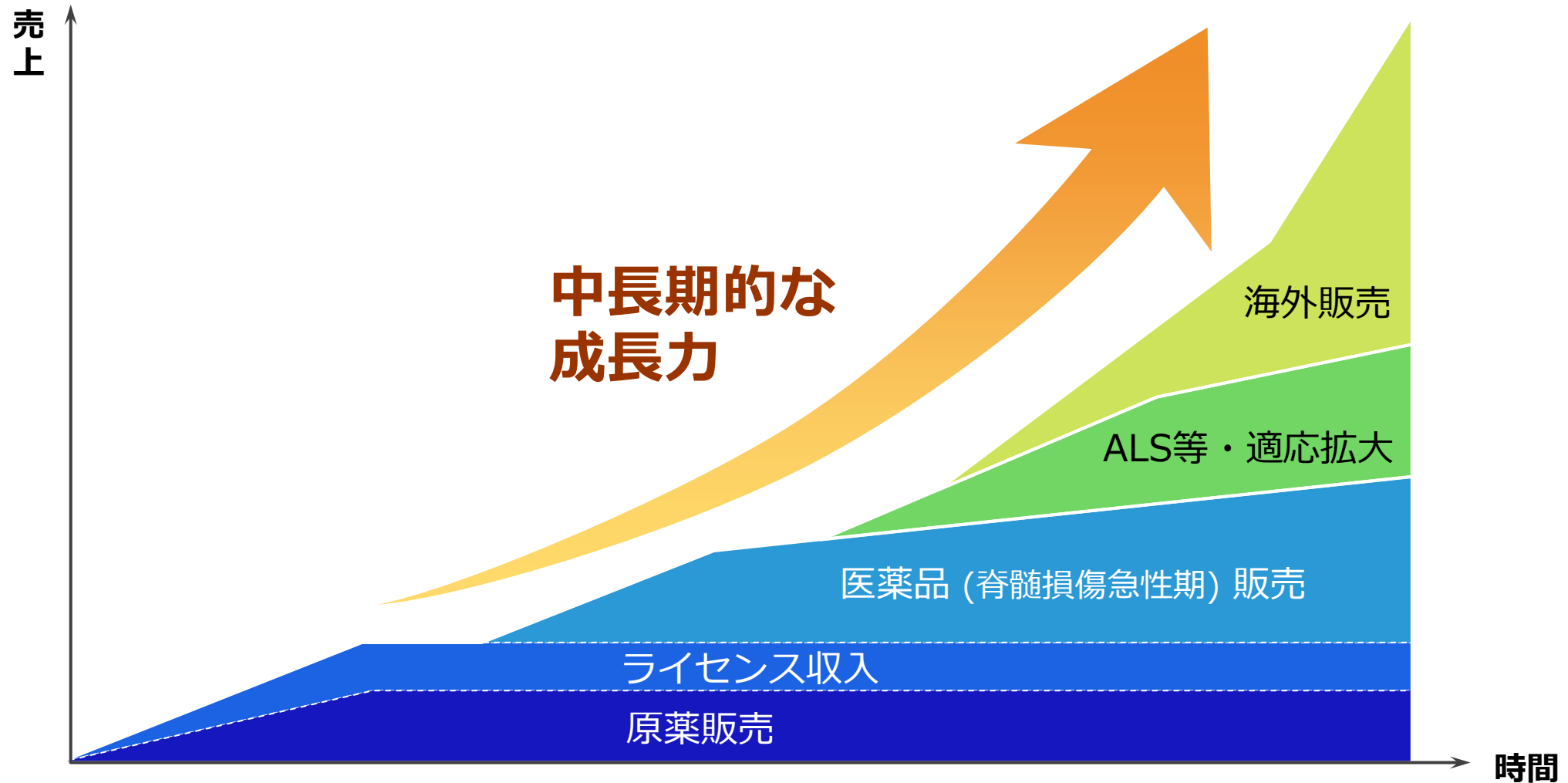
*2 高度治療が可能な先進国

*3 当社予測

HGF再生治療薬の適応拡大の可能性



ハイブリッドビジネスモデル + 適応拡大 + 海外市場開拓



* 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。

主な開発パイプラインの概要

開発パイプライン － 脊髄損傷急性期 －

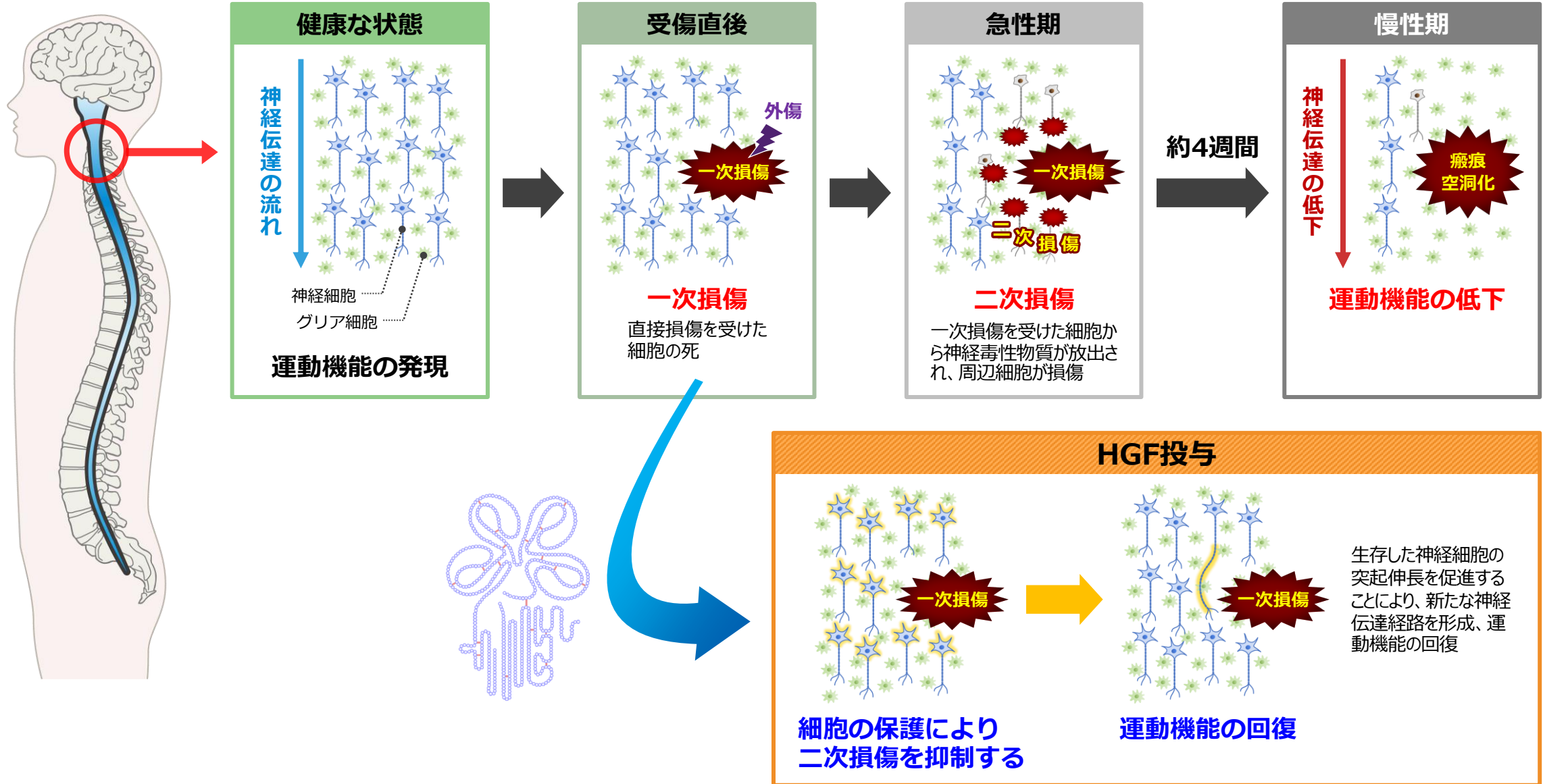
疾患の特徴

- 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



脊髄損傷急性期 第 I / II 相試験の結果



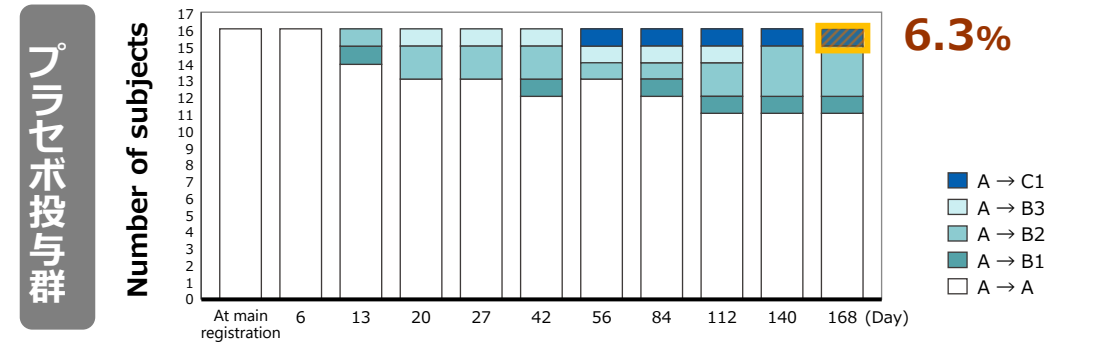
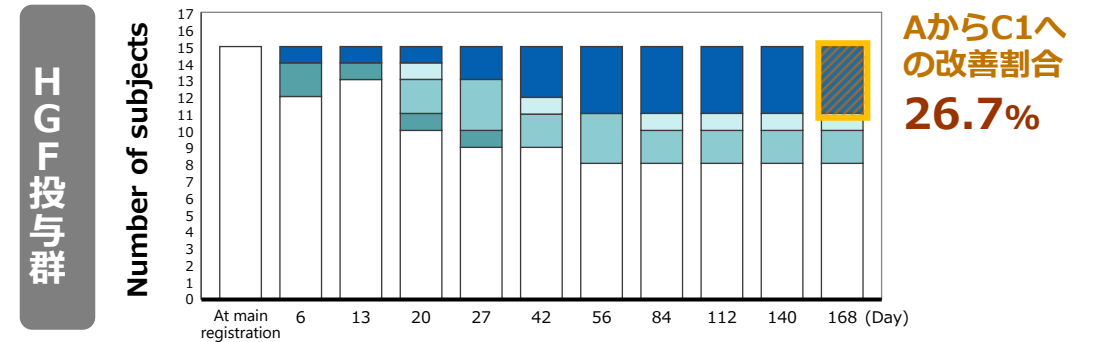
プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

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**

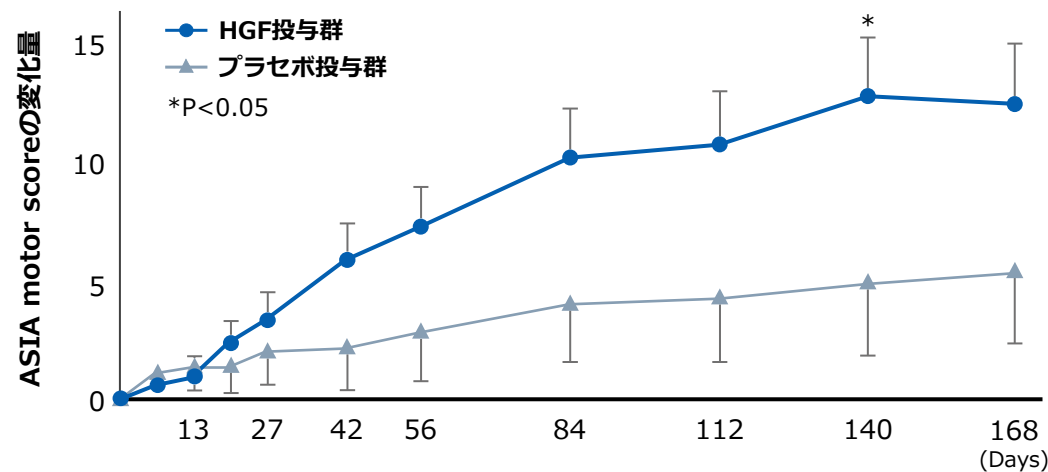
有効性について **有効性の示唆を得た (POCが得られた)**

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



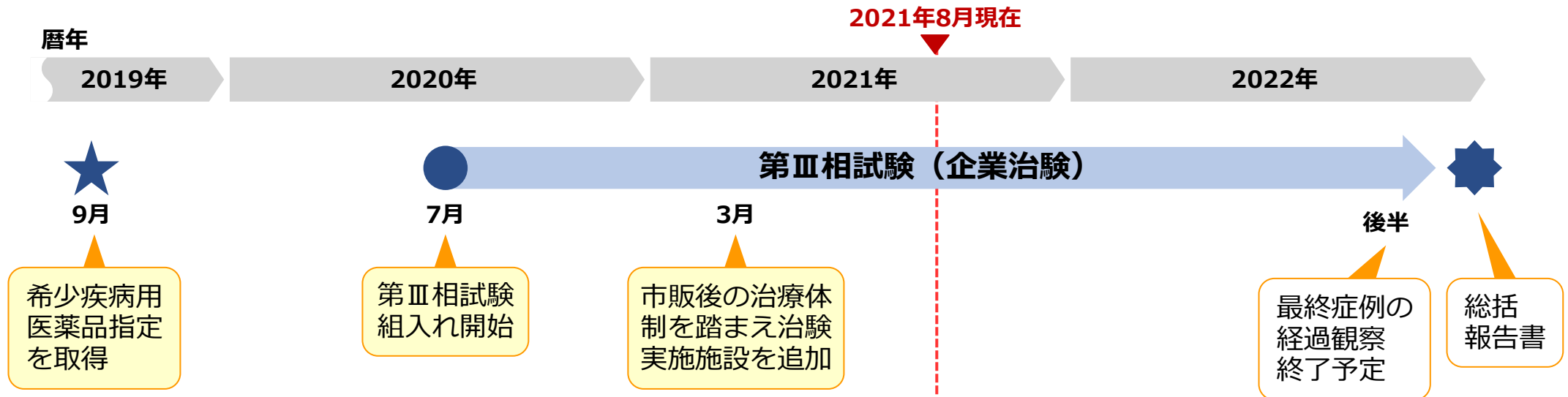
2019年9月 本試験結果を踏まえて、希少疾病用医薬品指定 (オーファン指定) を受けた (日本のオーファン指定品目の上市確度は極めて高い*)

* 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

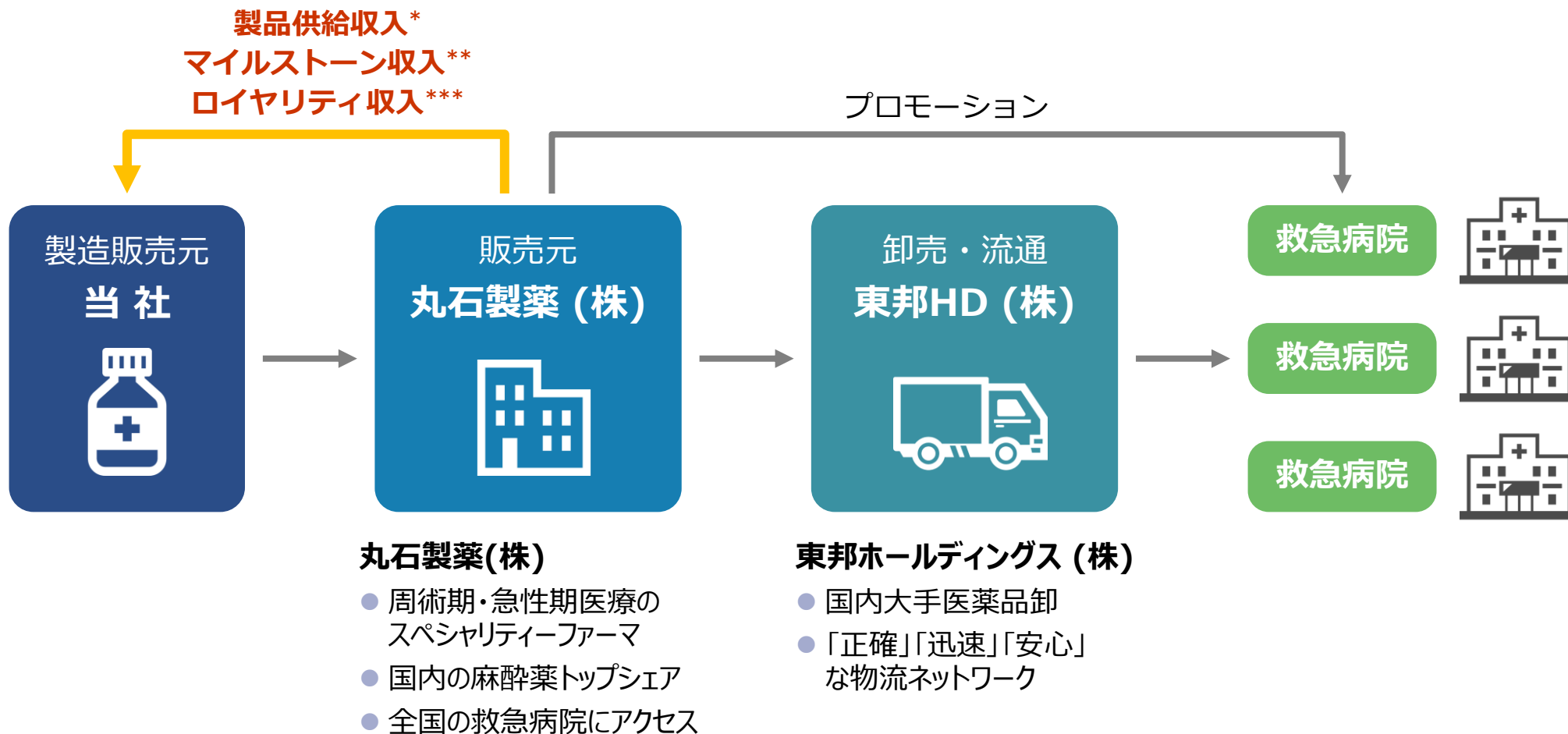
- 試験デザイン： 多施設共同非ランダム化試験
- 目標症例数： 25症例（HGF投与群のみ）
- 対象患者： 頸髄損傷（AIS分類：A）、年齢：18～89歳
- 用法： 脊髄腔内投与（週1回×5回）、観察期間6カ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6カ月のAISがC以上に改善した症例割合
- 実施施設： 国内5ヶ所



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

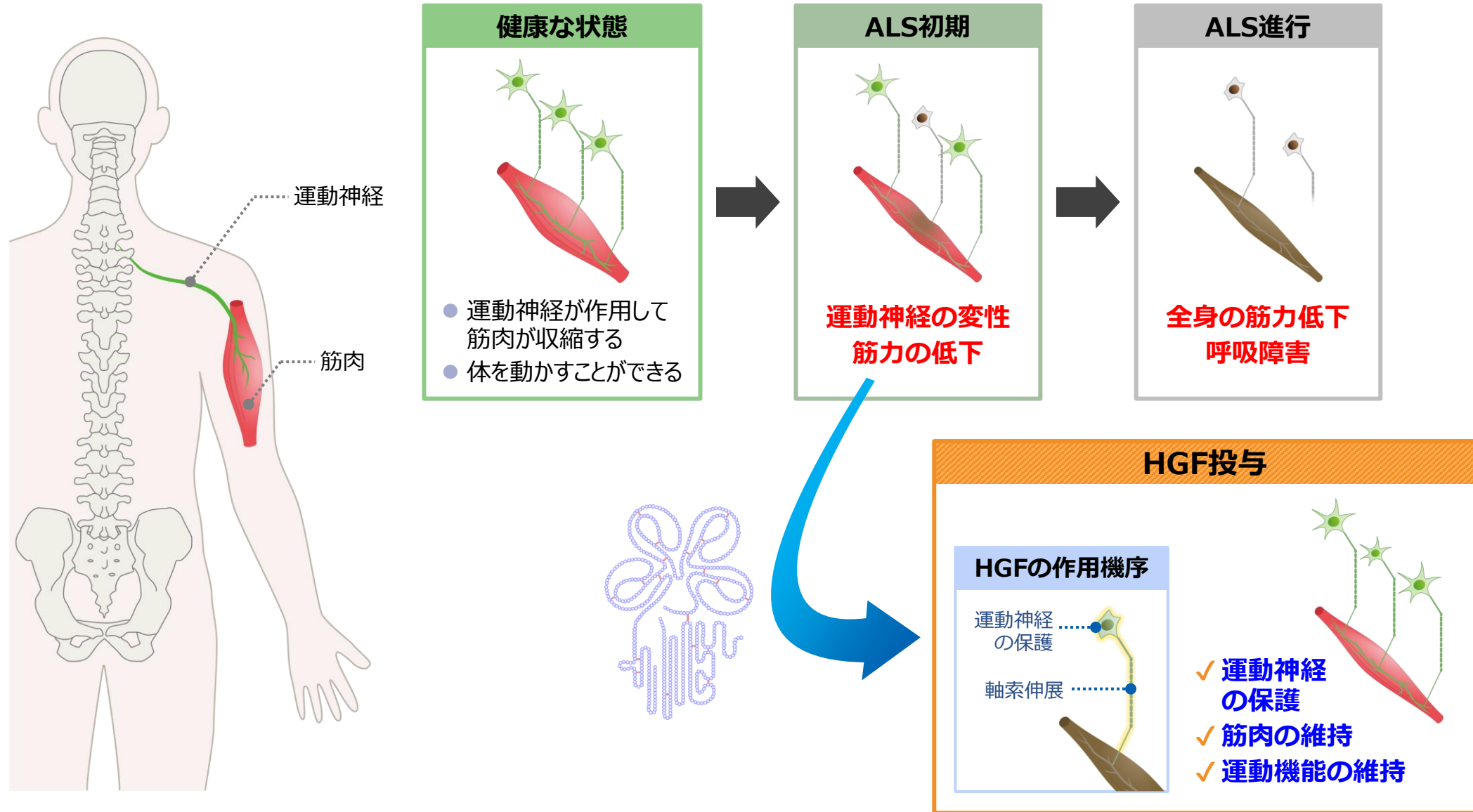
- 運動神経の細胞死に起因する原因不明の疾患
- 患者数*：9,800人 (日本)、8.5万人 (全世界)
- 3～5年以内に80%以上の患者が死亡**
- 遺伝的な家族性ALSは10%程度**
- 発症は30～80歳代 (ピークは65～69歳)**
- 既存薬 (リルゾール、エダラボン) の効果は限定的
- 大きな医療経済効果 (患者及び介護者)



* 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

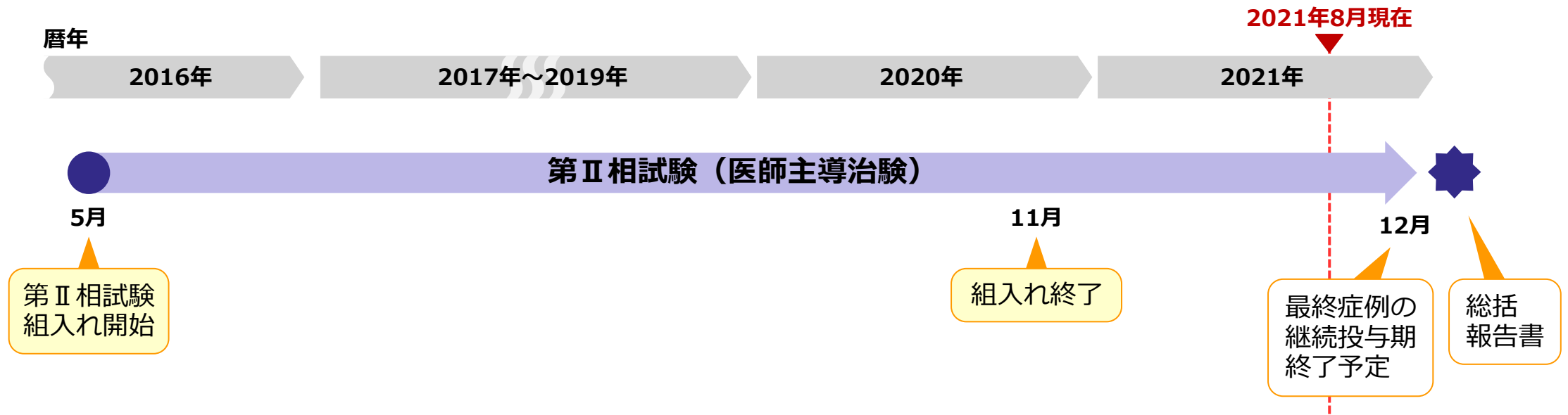
ALSに対するHGFの作用



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



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

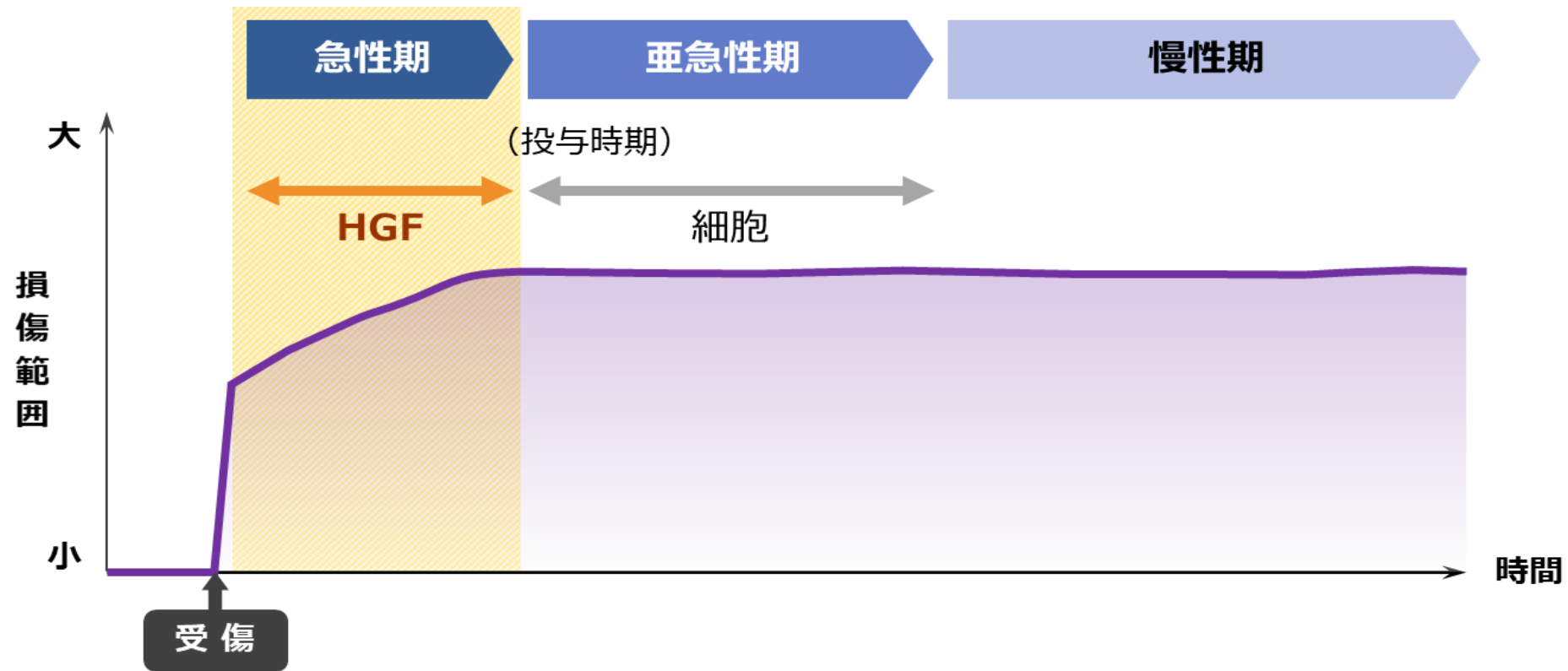


ご清聴ありがとうございました。

質疑応答に移らせていただきます。

參考資料

脊髄損傷治療に関するHGFタンパク質と細胞治療薬の比較



	HGFタンパク質	細胞治療薬
受傷後の使用	速やかに使用可	待機時間が必要
受診機関	全国の救急病院	限定的
費用	比較的安価	高価

開発パイプライン

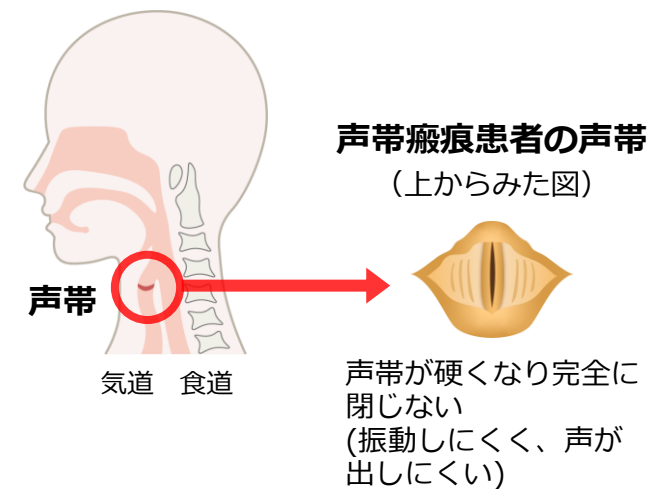
－ 声帯癒痕 －

疾患の特徴

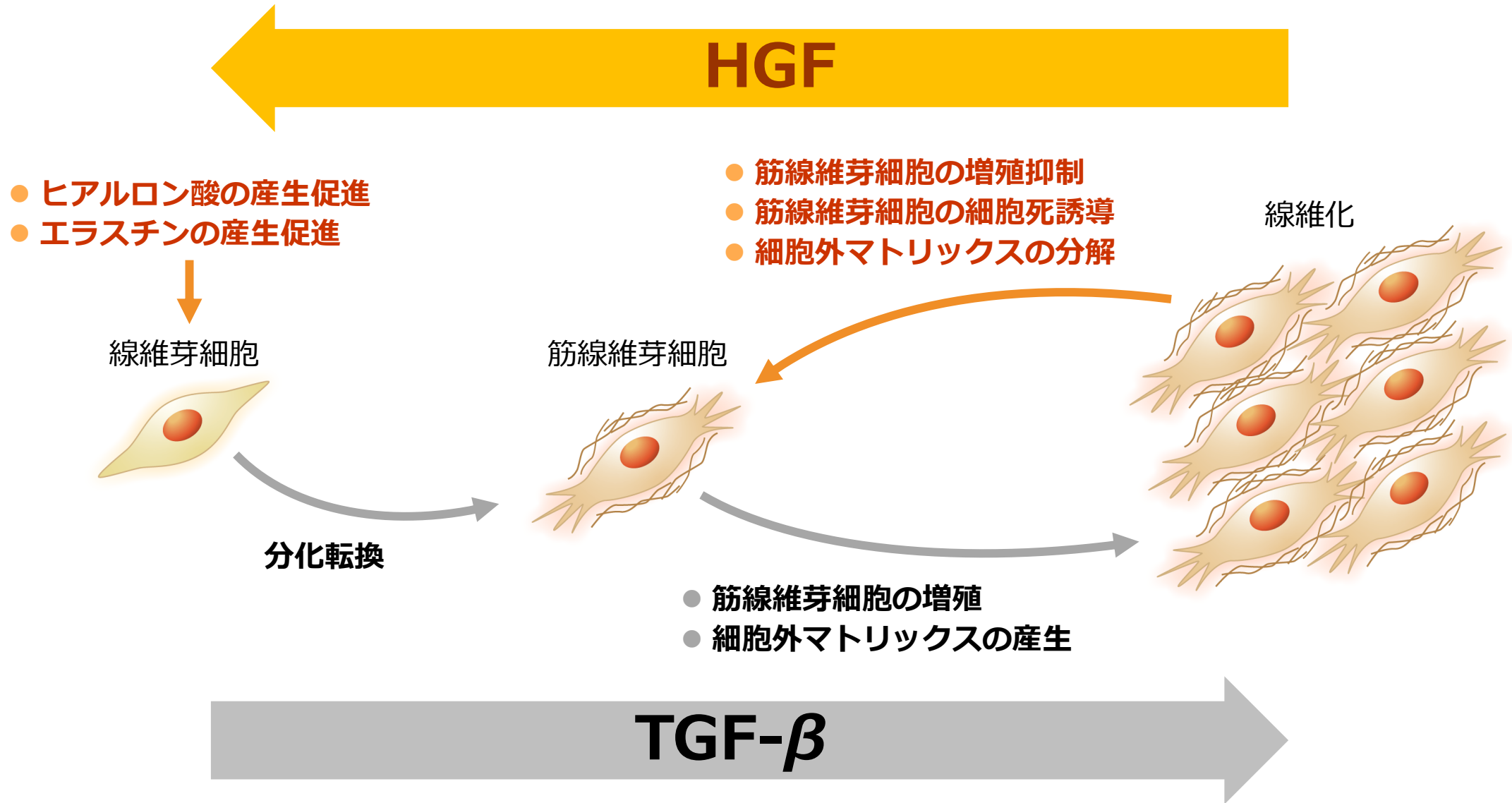
- 1秒間に200～300回振動して発声
- 表面は粘膜、内側は筋肉や靭帯からなる層構造

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



声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果



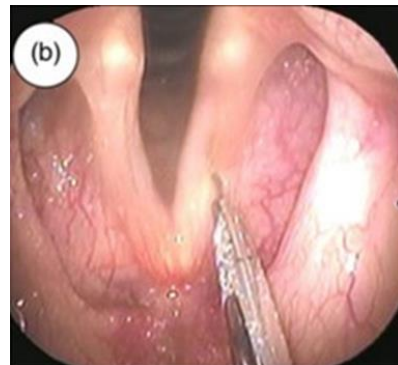
Kringle
Pharma

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	1 μ g、3 μ g、10 μ g/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 \Rightarrow 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 \Rightarrow 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

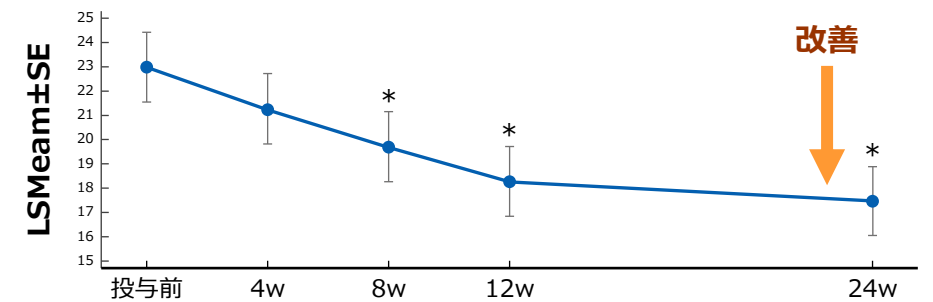


投与方法：

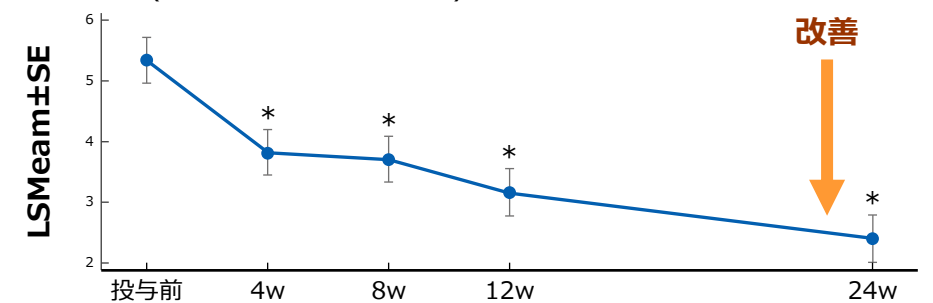
喉頭注射針 (a) を用いて
声帯局所に注射する (b)

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)

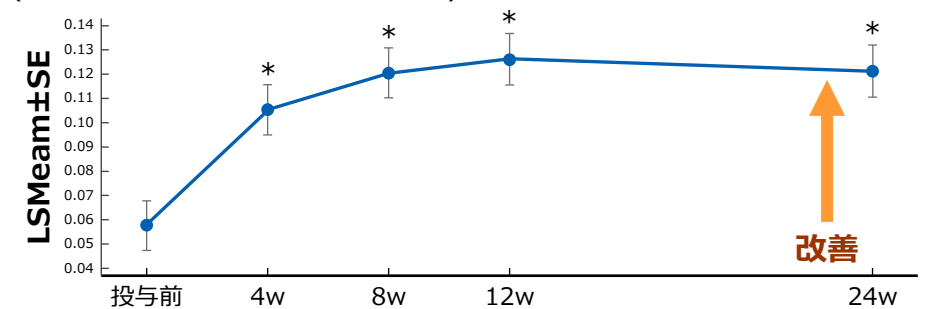


GRBAS (第三者による聴覚的評価)



Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

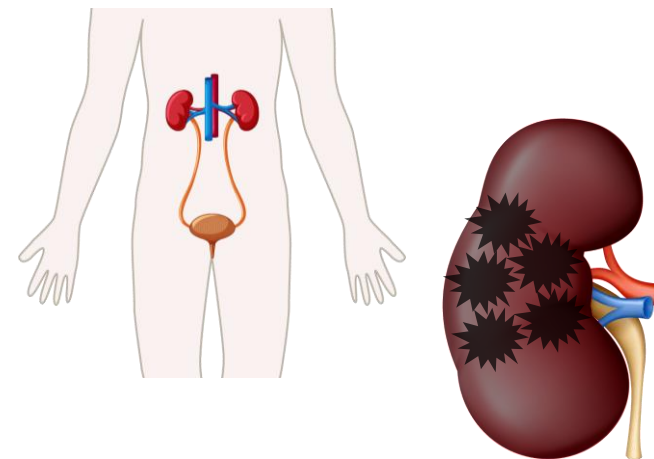


Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

開発パイプライン －急性腎障害－

疾患の特徴

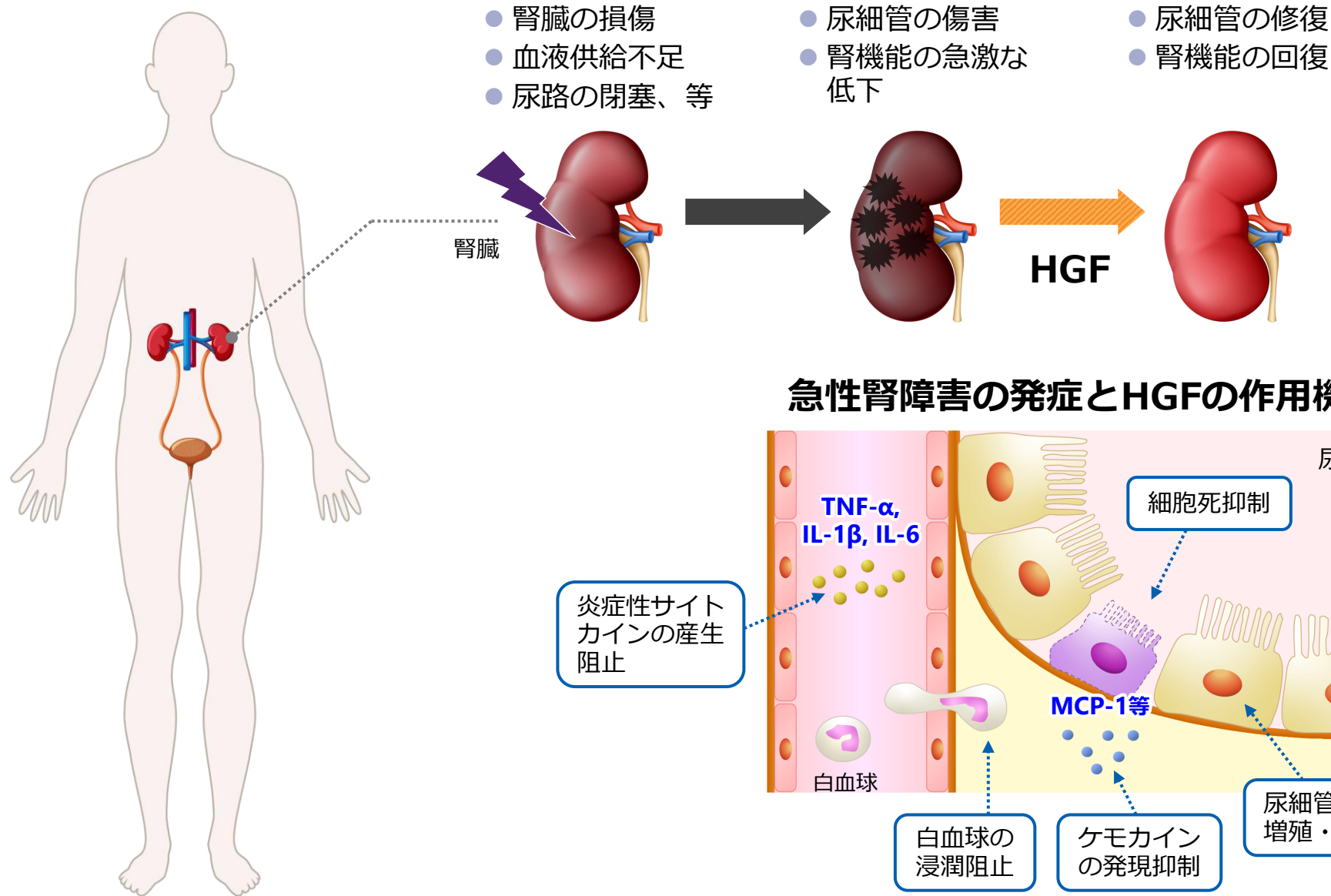
- 原因： 腎虚血、腎炎、造影剤、手術、薬物など
- 患者数*： 7.6万人 (日本)、76万人 (全世界)
- 発症頻度**： 入院患者の5～7%、
ICU入室患者の20～25%
- 死亡率**： 約50% (ICU患者では70%)
- 根本的な治療法はない
- 対症療法： 食事療法 (低タンパク食、減塩、カリウム制限食)、
利尿薬、カリウムイオン交換樹脂、透析 など



* 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)

HGFによる急性腎障害治療の根拠



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

ページ	用語	意味・内容
12	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。
12	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。
12	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。
12	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。
12	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。
19	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。
19	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。
19	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。
19	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。
19	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
27	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。完全麻痺のAから正常のEまで11段階に分類される。
27	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。
28	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。
32	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。
32	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。
43	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。