



2022年9月期 第3四半期決算及び業績予想の修正等について

2022年8月12日

クリングルファーマ株式会社
(東証グロース：4884)

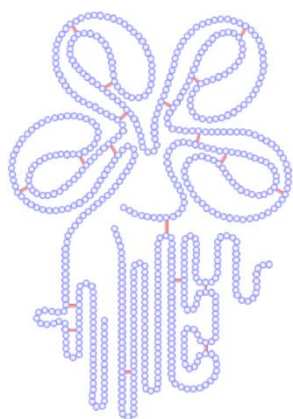
本資料の取り扱いについて

- 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。

- **会社概要**
 - 当社の特徴
 - ビジネスモデル
 - 成長戦略
- **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） ←アップデート
 - 声帯癒痕
- **2022年9月期第3四半期決算概況**
 - 2022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・財政状態の概況
 - 減資について

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

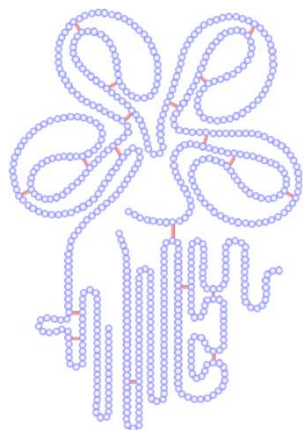
国際一般名称
Oremepermin Alfa
(オレメペルミン アルファ)



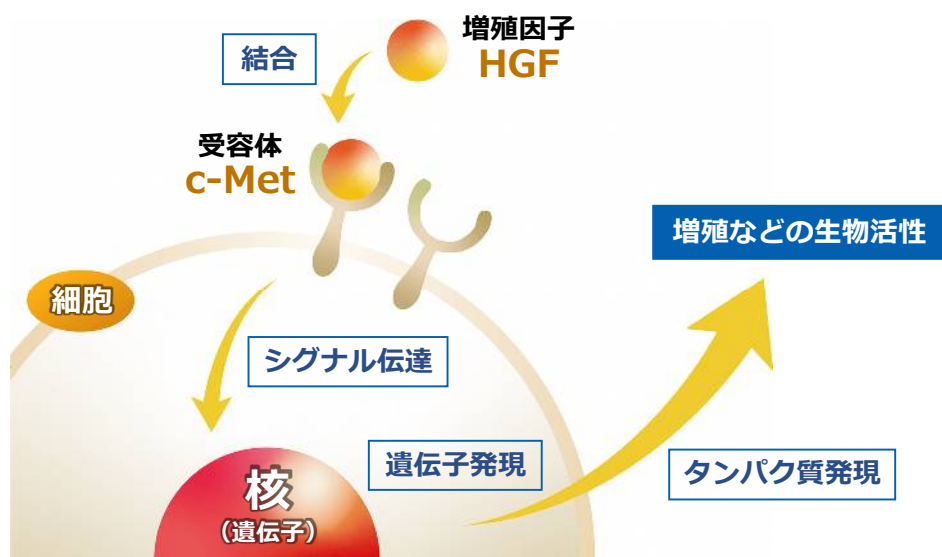
製品のイメージ (医療用医薬品)

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
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	307百万円 (2022年6月末時点)
役員数	取締役6名、監査役3名
従業員数	13名 (2022年6月末時点)

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」



<p>細胞増殖</p> 	<p>細胞保護</p> 	<p>遊走促進</p> 	<p>軸索形成促進</p> 
<p>抗線維化</p> 	<p>器官形成</p> 	<p>血管新生促進</p> 	<p>グリア細胞の機能維持</p> 



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
- レイトステージのパイプライン
 - 脊髄損傷急性期 希少疾病用医薬品指定*
第Ⅲ相試験実施中
 - ALS 第Ⅱ相試験実施中
 - 声帯癒痕 第Ⅱ/Ⅲ相試験準備中
 - 急性腎障害 第Ⅰ相試験終了



HGF再生治療薬の プラットフォーマー

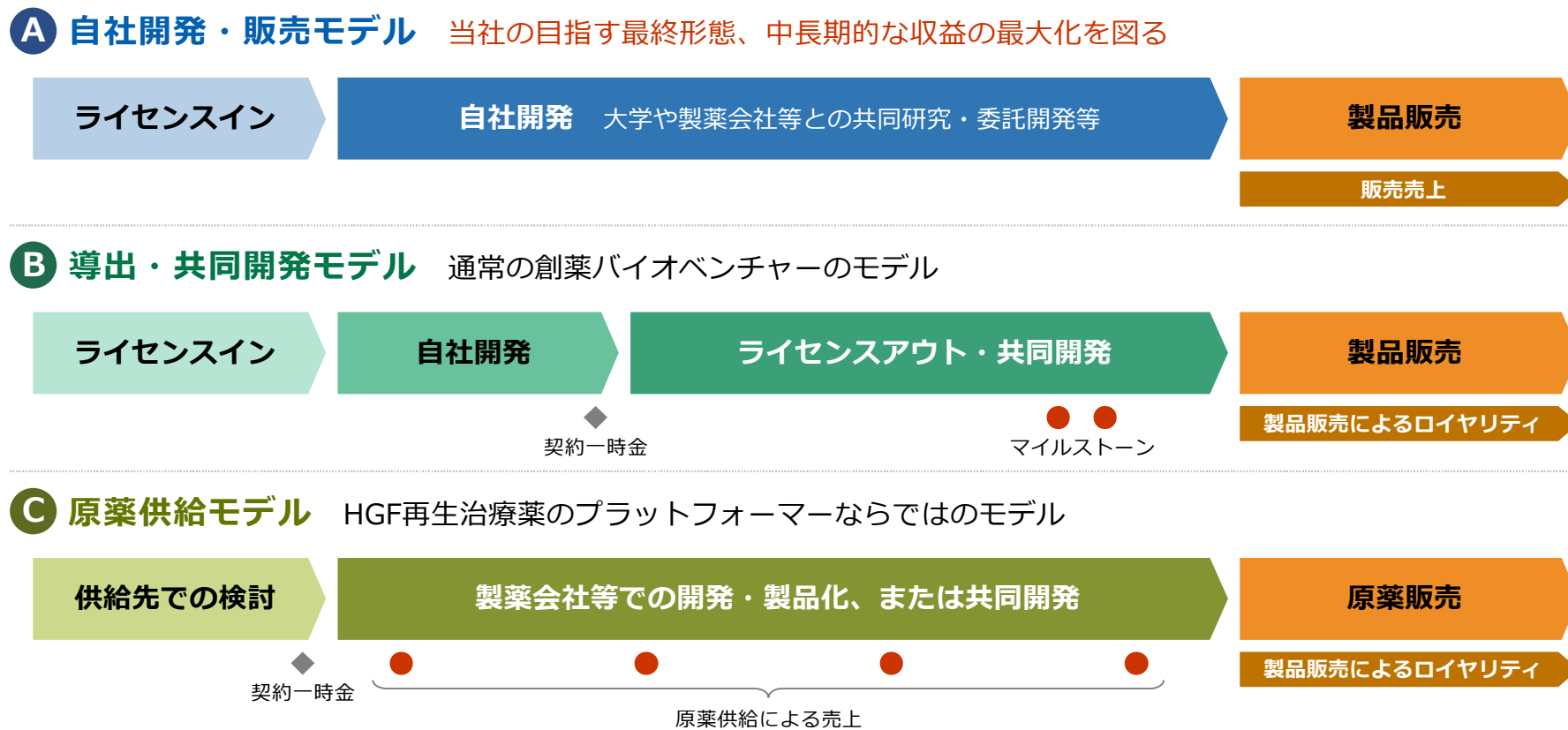
- 組換えHGFタンパク質：ファースト・イン・クラスの開発シーズ
- 医薬品としての製造・量産体制を確立
- 多くの疾患への適応拡大による成長
 - 米国クラリス社への原薬供給により、
同社は神経栄養性角膜炎を対象に第
Ⅰ/Ⅱ相試験実施中

* 指定番号：(31薬)第442号

HGF再生治療薬のプラットフォーマー：当社のビジネスモデル



当社の事業



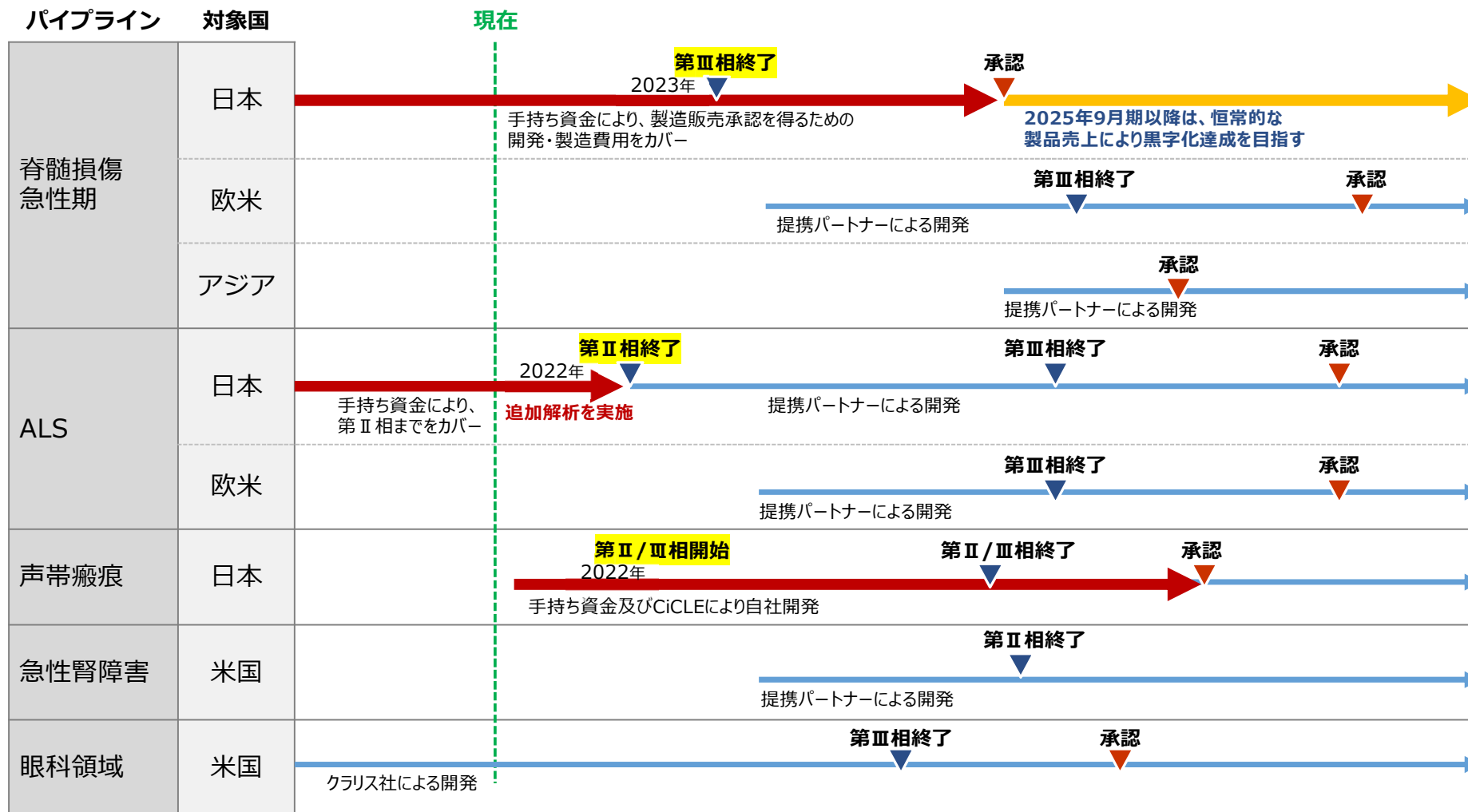
開発パイプラインの概要

- 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）
- **脊髄損傷急性期、ALS及び声帯癒痕を対象とする開発にリソースを投下**

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		2023年前半終了予定	
B	2	ALS	第Ⅱ相試験(プラセボ対照二重盲検比較試験、医師主導治験) 実施中、 主要・副次評価項目に統計的有意差なし、追加解析実施予定	終了	実施中	追加解析実施予定		
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) 第Ⅱ/Ⅲ相試験計画中	終了		計画中	2022年後半開始予定	
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			

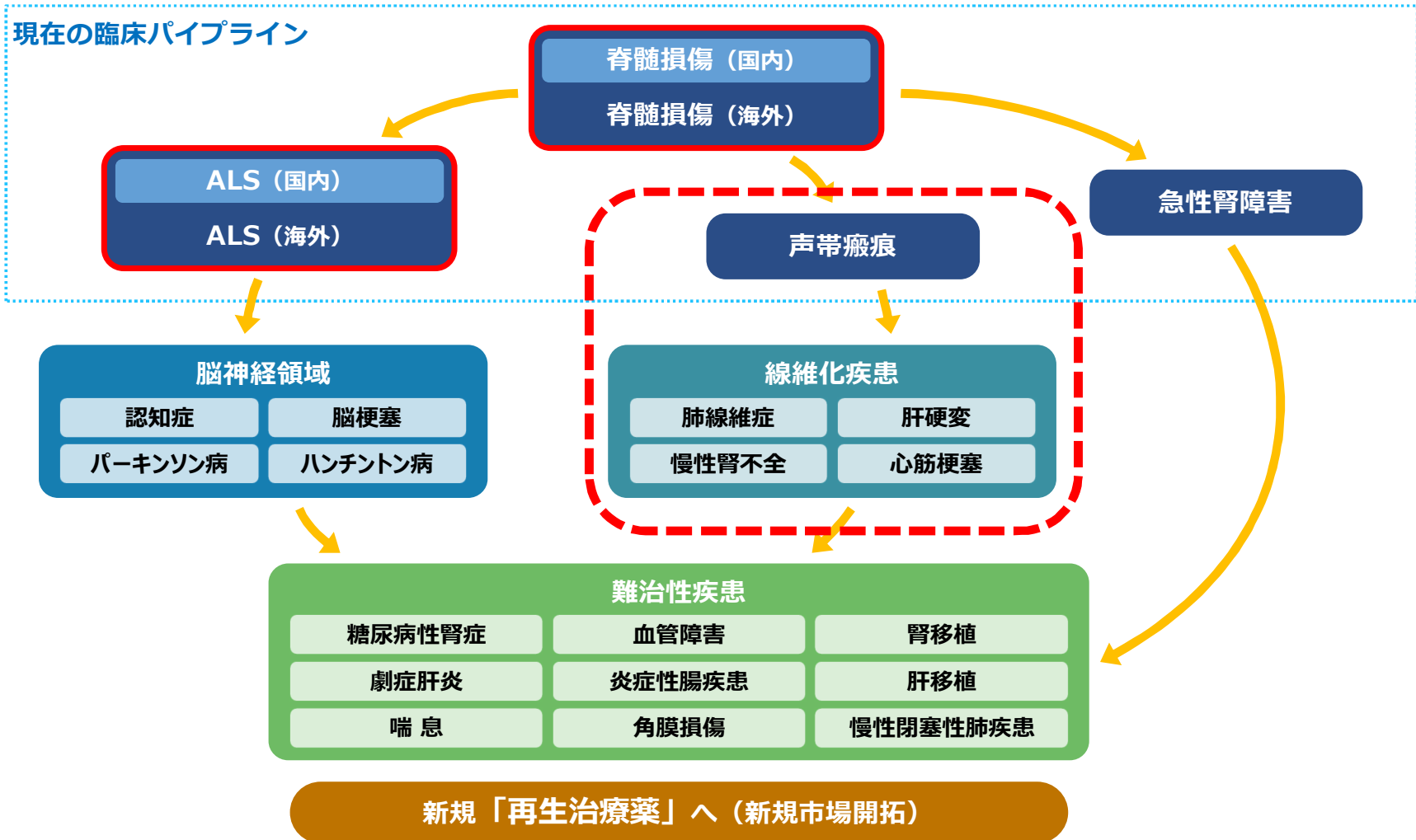
赤字部分は更新箇所を示す

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。

HGF再生治療薬の適応拡大



新規「再生治療薬」による新規市場開拓へ ～アカデミアとの共同研究～

慶應義塾大学医学部生理学 岡野栄之教授、同整形外科学 中村雅也教授

- 脊髄損傷急性期、亜急性期、慢性期の各ステージにあわせた最適な次世代治療法の開発
- iPS細胞由来神経幹/前駆細胞とHGFの組み合わせ

東京医科歯科大学大学院医歯学総合研究科消化器病態学分野 岡本隆一教授

- 自家腸上皮幹細胞移植による再生医療の臨床研究
- 移植治療に用いる腸上皮オルガノイドを作製する際にHGFを使用

京都大学医生物学研究所 田畑泰彦教授

- 対象疾患に最適で効果的な次世代再生治療法の探索
- 生物材料（バイオマテリアル）とHGFの組み合わせ

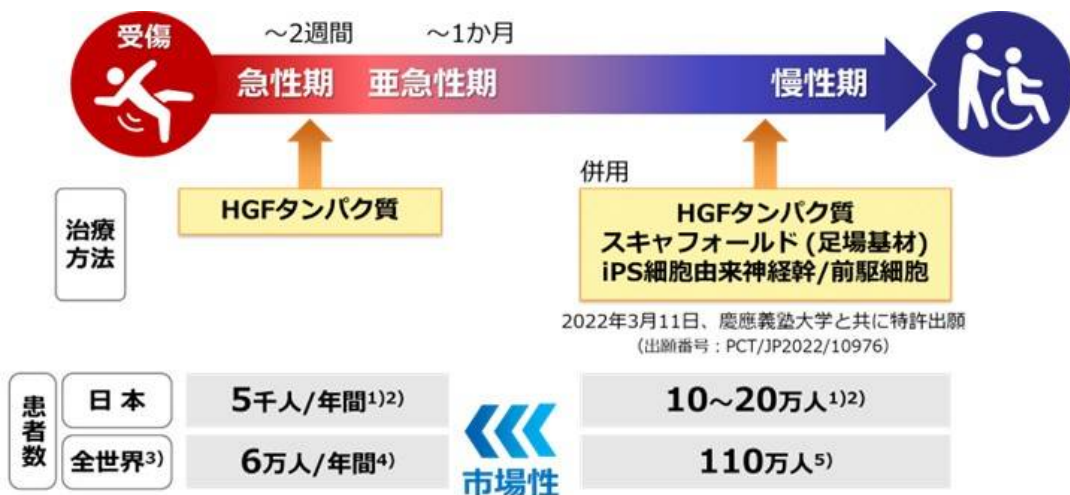
金沢大学がん進展制御研究所 松本邦夫教授

- HGFの次世代製造方法に関する研究

新規「再生治療薬」による新規市場開拓へ ～アカデミアとの共同研究～

慶應義塾大学 岡野栄之教授・中村雅也教授との共同研究

- iPS細胞由来神経幹/前駆細胞とHGFの組み合わせ



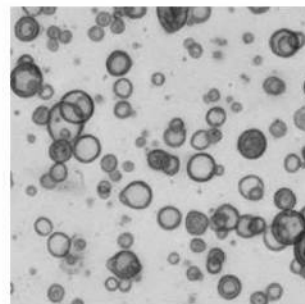
- 1) 新宮彦助. 脊髄損傷の予防. 日本パラプレジア医学会雑誌 13:48-49, 2000
- 2) 坂井宏旭. 疫学調査. 総合リハ36:969-972, 2008
- 3) 高度治療が可能な先進国
- 4) 国内の患者数、Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2021)、総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計
- 5) Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2021)、The International Spinal Cord Injury Society HP、総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

東京医科歯科大学 岡本隆一教授との共同研究

- 移植治療用の腸上皮オルガノイドの作製にHGFを使用

“腸上皮オルガノイド”の特性

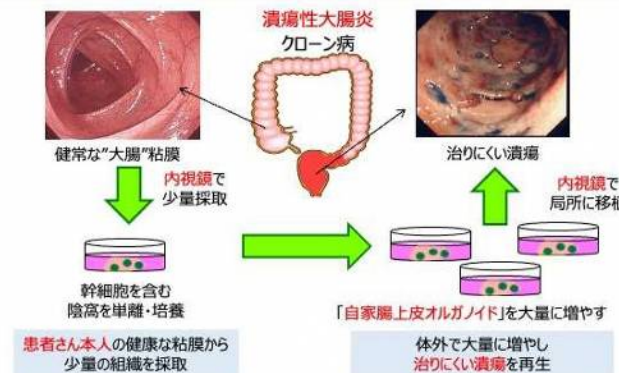
顕微鏡写真



- ▶ 一層の細胞からなる球状の**オルガノイド**
- ▶ 適切な環境と操作の下で**大量・長期培養**が可能



ヒトの体に本来備わっている幹細胞(体性幹細胞)を利用するオルガノイド医療



出典：2022年7月6日付け東京医科歯科大学プレス通知資料
https://www.tmd.ac.jp/files/topics/57818_ext_04_6.pdf

患者数と市場規模

	対象疾患	患者数*1		競合品	HGFタンパク質製剤 市場規模*3
		日本	全世界*2		
神経系疾患	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 ※HGF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 ※HGFと併用可能	国内： ~200億円 海外： ~1,000億円
線維化疾患	声帯癒痕	12,000人	100,000人	喉頭形成術など (効果は限定的) ※薬剤治療はHGFのみ	国内： ~50億円 海外： ~300億円

*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

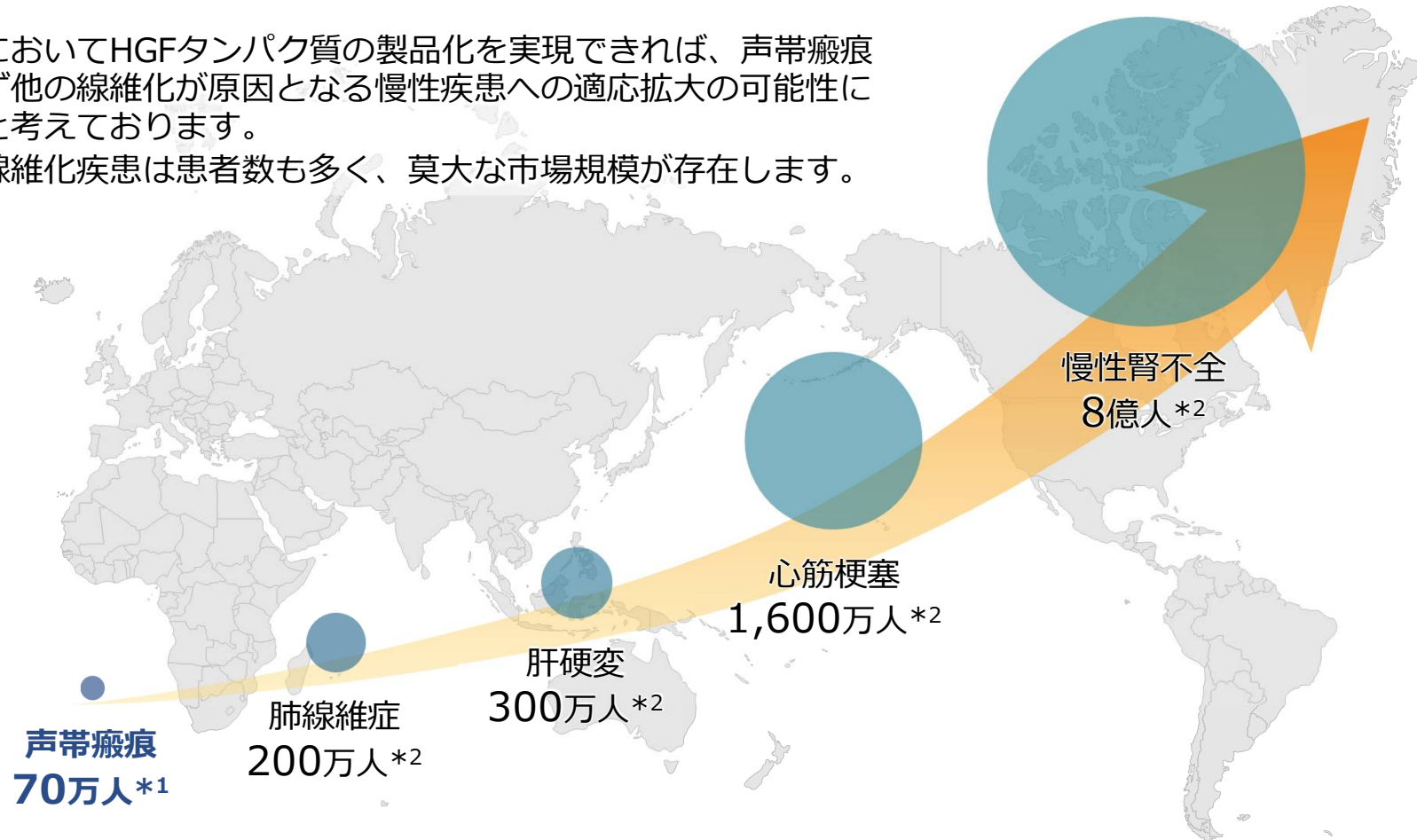
*2 高度治療が可能な先進国

*3 当社予測：想定する患者数、診断率、治療率、薬剤使用率、薬価から算出

線維化疾患への展開：世界の患者数

声帯癒痕においてHGFタンパク質の製品化を実現できれば、声帯癒痕のみならず他の線維化が原因となる慢性疾患への適応拡大の可能性につながると考えております。

これらの線維化疾患は患者数も多く、莫大な市場規模が存在します。

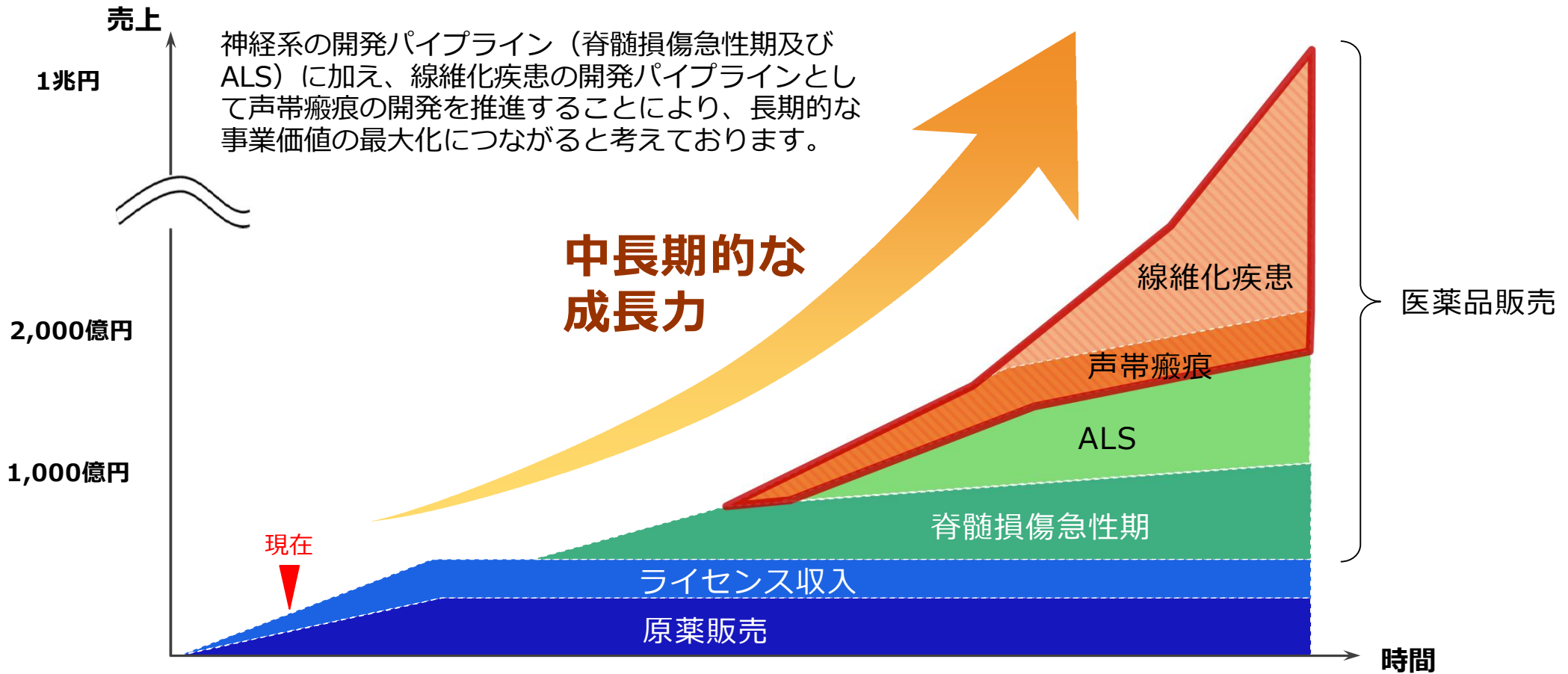


*1 日本の有病率を基に人口比で算出

*2 GBD 2015 Disease and Injury Incidence and Prevalence Collaborators. Global, regional, and national incidence, prevalence, and years lived with disability for 310 diseases and injuries, 1990–2015: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2015. Lancet 2016; 388: 545–602.

収益イメージ図*

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。

開発パイプラインの進捗状況

開発パイプライン

－ 脊髄損傷急性期 －

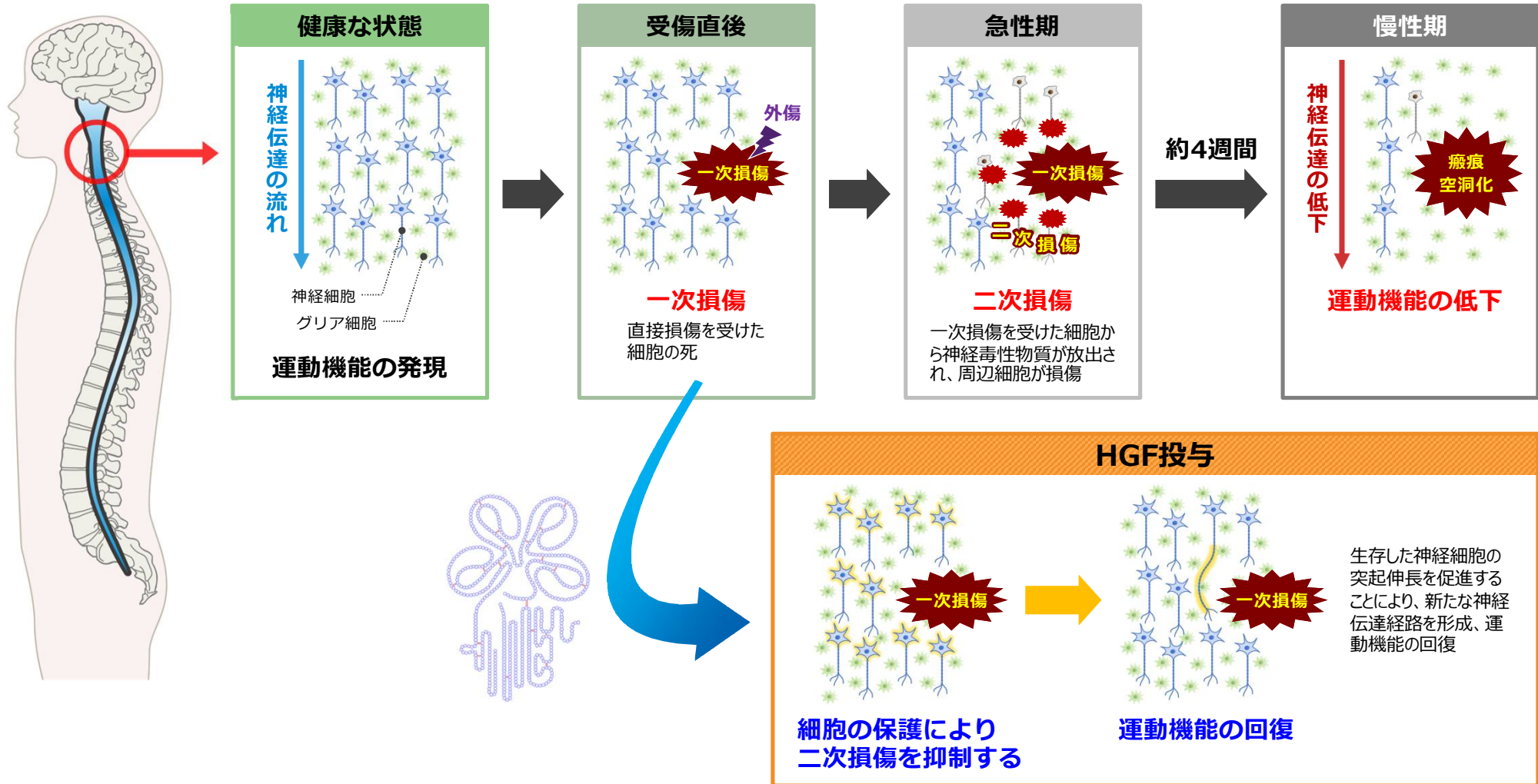
疾患の特徴

- 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

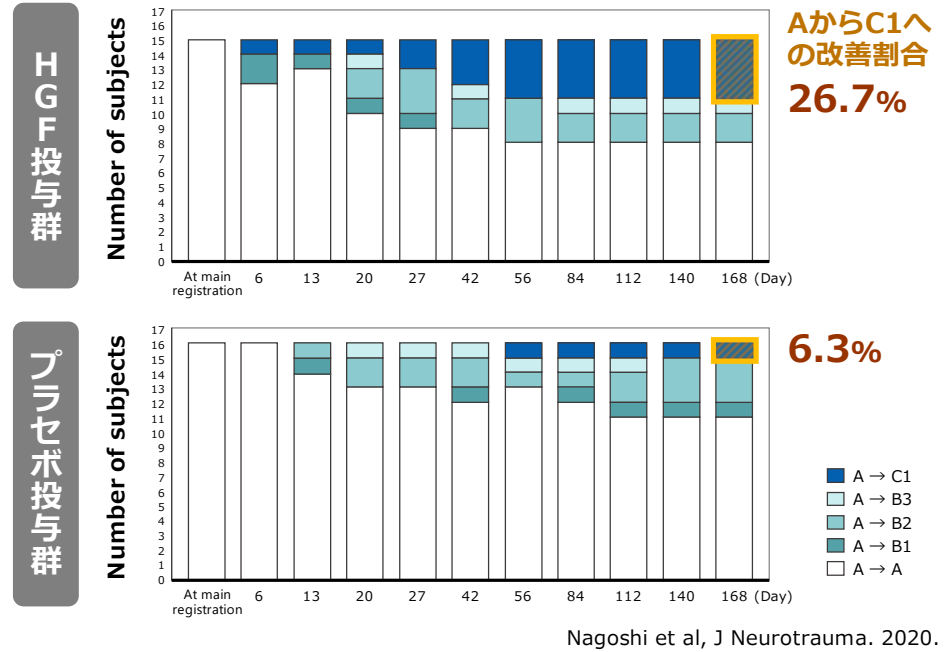


プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

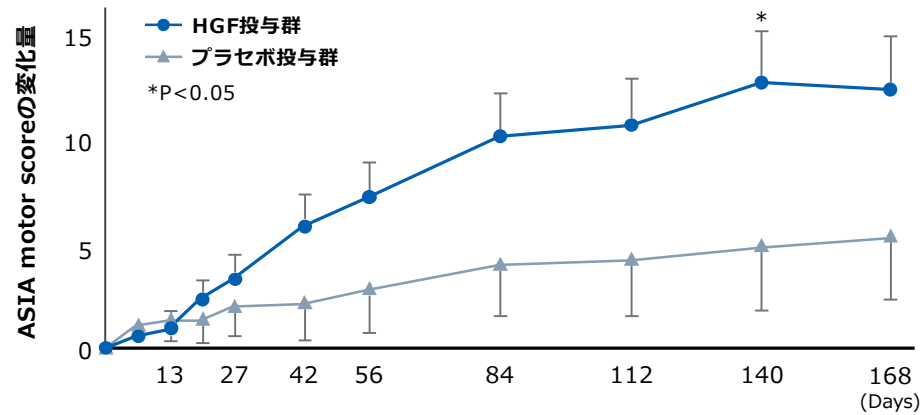
HGF投与群 : 28症例 / プラセボ投与群 : 17症例

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)



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*)

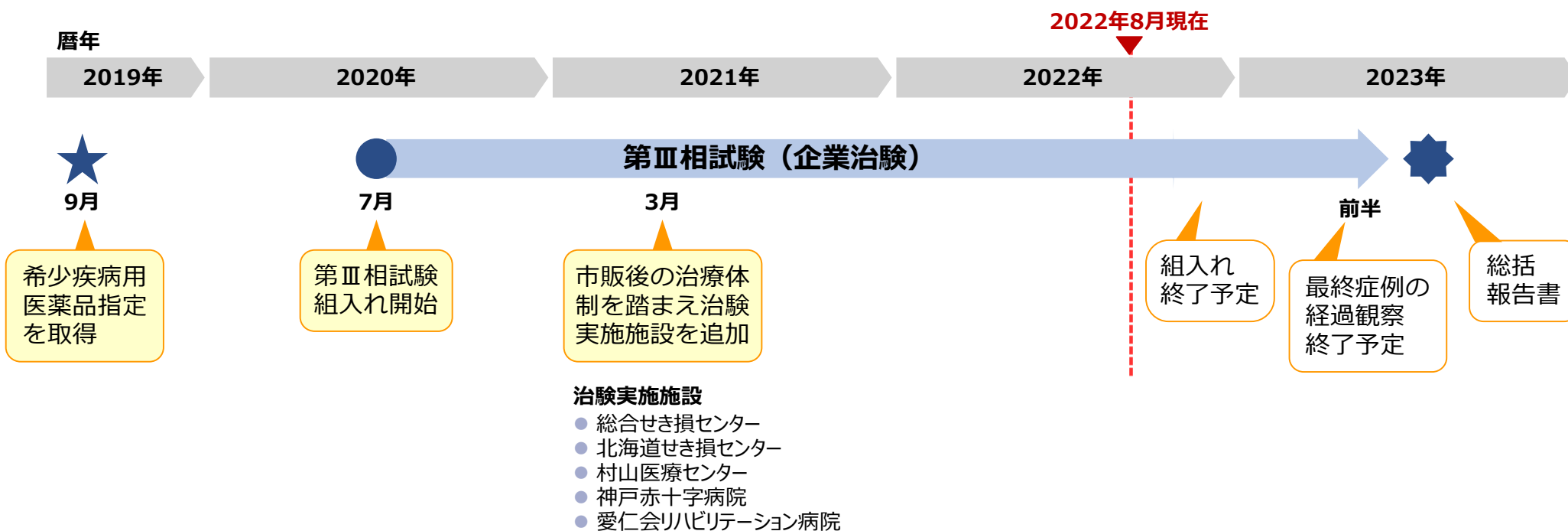
* 出典: 日本の希少疾病用医薬品の指定要件の現状に関する研究 医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No. 70 (2017)

脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

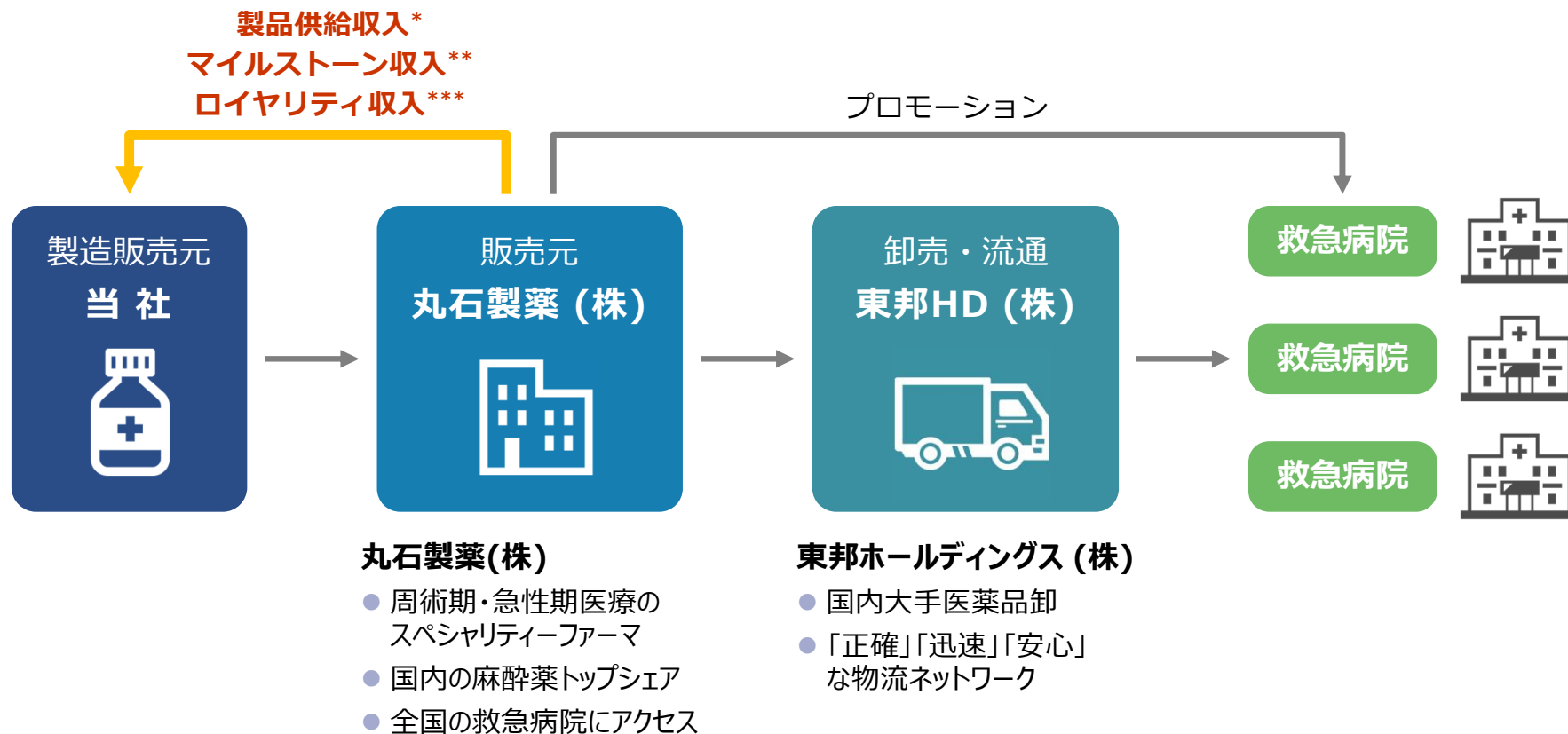
組入れ
継続中



- 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ヵ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6ヵ月のAISがC以上に改善した症例割合
- 実施施設： 国内5ヶ所



ビジネスモデル A+B : 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

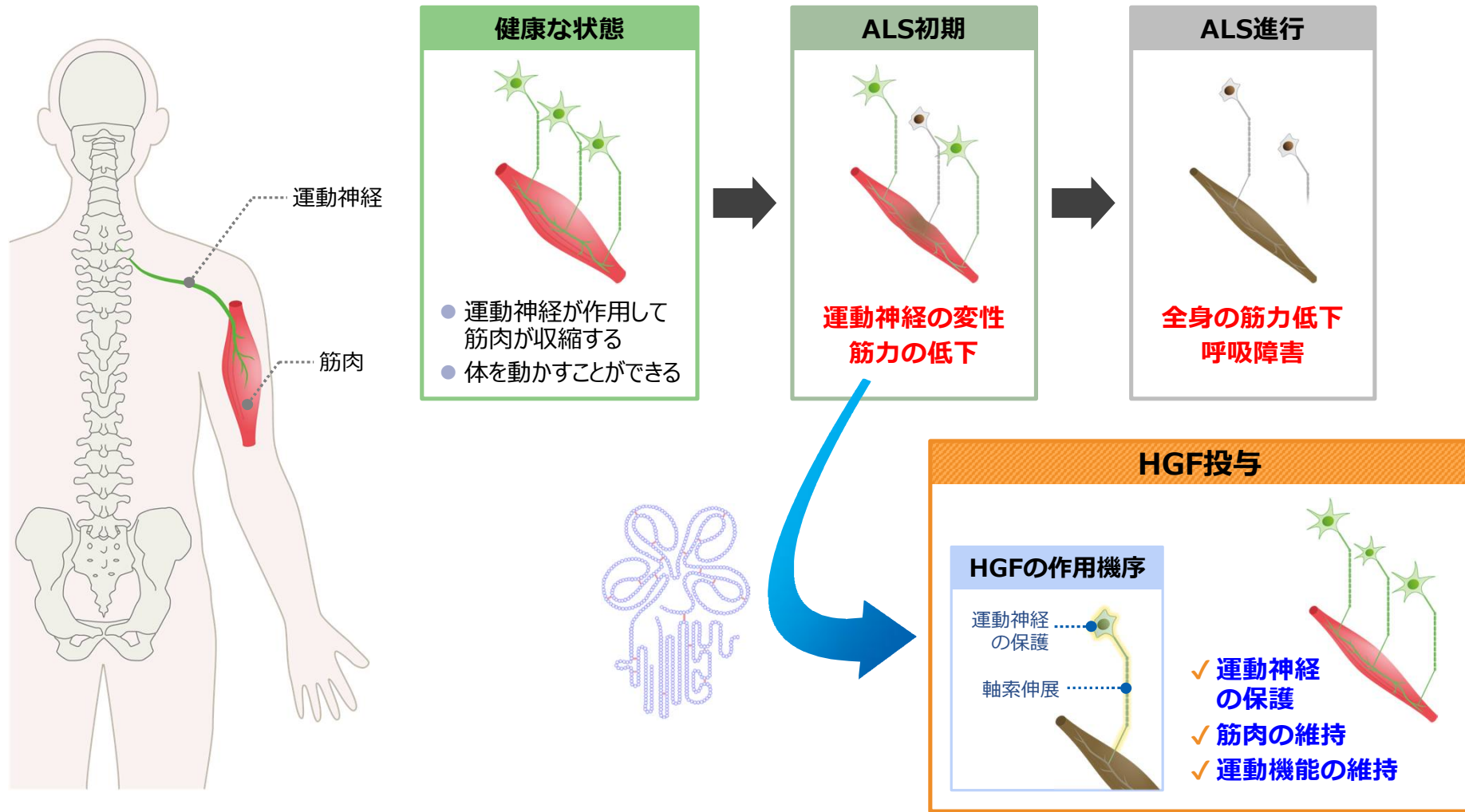
- 運動神経の細胞死に起因する原因不明の疾患
- 患者数*：9,800人 (日本)、8.5万人 (全世界)
- 3～5年以内に80%以上の患者が死亡**
- 遺伝的な家族性ALSは10%程度**
- 発症は30～80歳代 (ピークは65～69歳)**
- 既存薬 (リルゾール、エダラボン) の効果は限定的
- 大きな医療経済効果 (患者及び介護者)



* 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

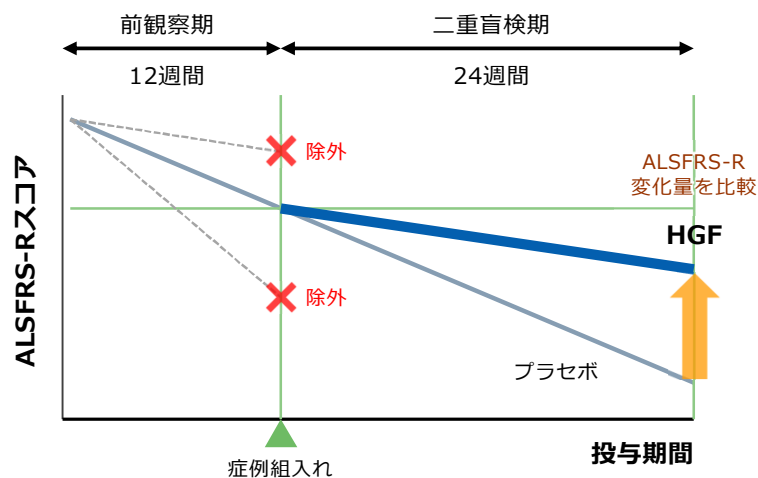


ALS 第Ⅱ相試験（医師主導治験）

組入れ終了
投与終了

- 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*¹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

主要評価項目のイメージ図



データ解析（速報）

- 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

追加解析を実施する

*¹ 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。

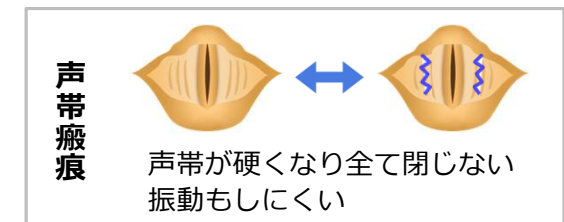
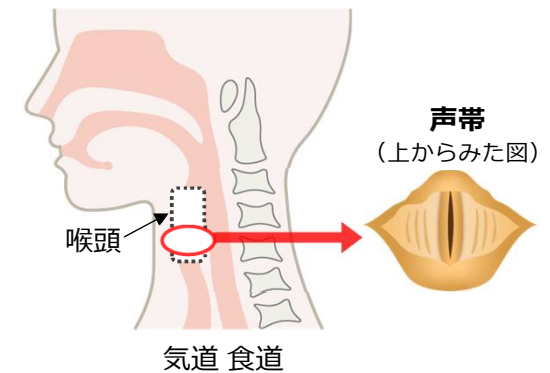
開発パイプライン － 声帯癒痕 －

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

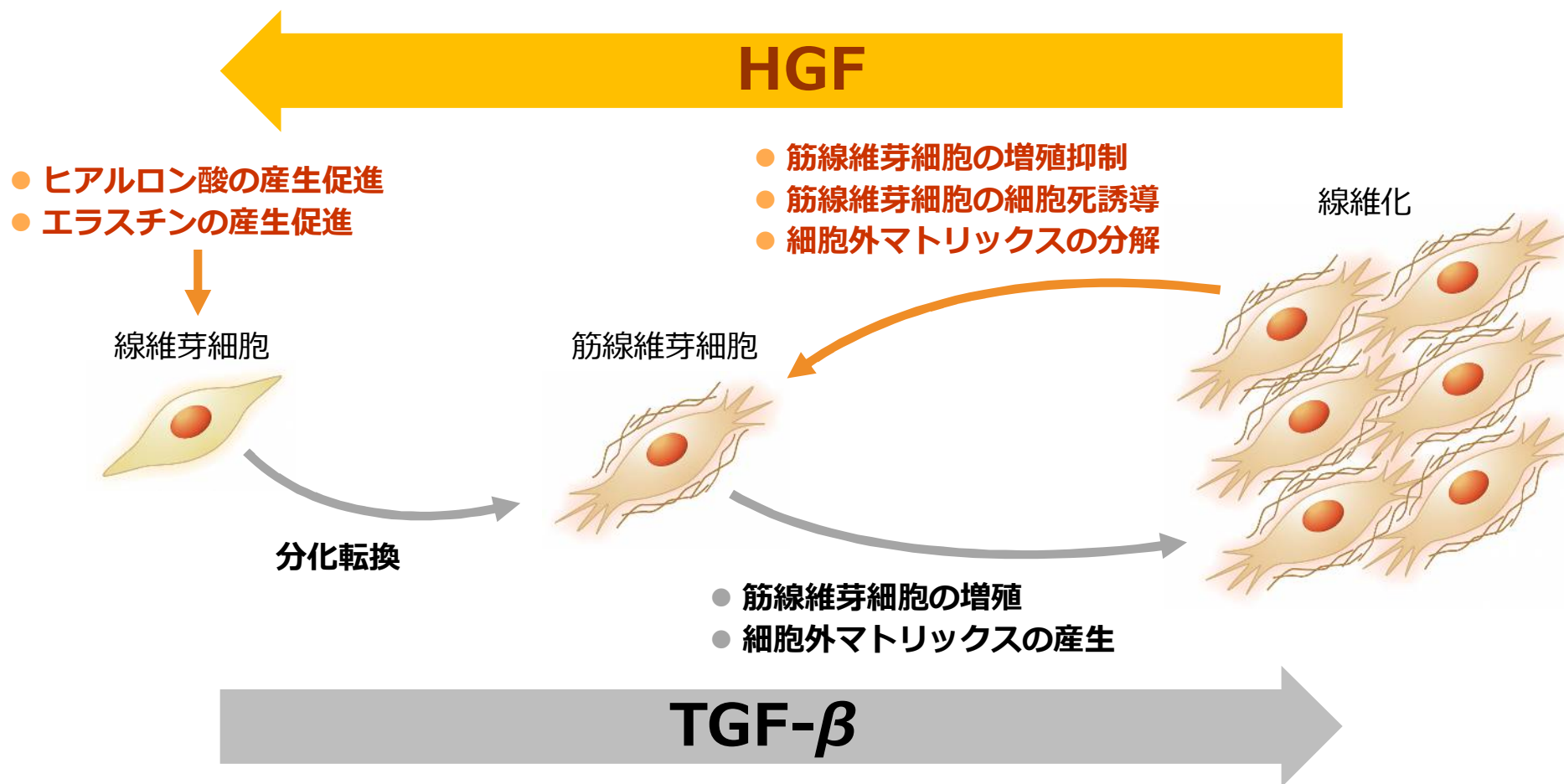
- 先天性、後天性 (炎症・外傷に起因) の慢性難治性疾患
- 声帯粘膜の線維化により声帯が硬く変性し、発声が困難になる
- 患者数* : 3,000～12,000人 (日本)、3～12万人 (全世界)
- 有効な治療法はない



* 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

声帯癥痕に対する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癥痕モデル動物での薬効を確認



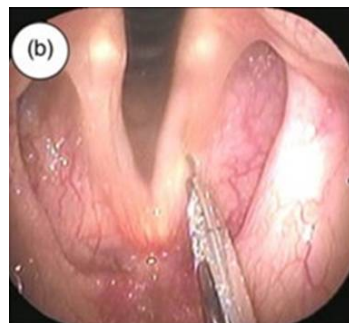
声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果

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

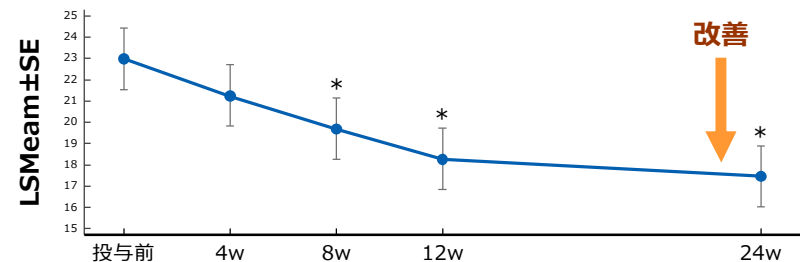
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1 μ g、3 μ g、10 μ g/片側声帯/回 1回/週、計4回、 両側声帯粘膜内局所投与
主要評価項目	安全性 \Rightarrow 良好であった
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 \Rightarrow 有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた



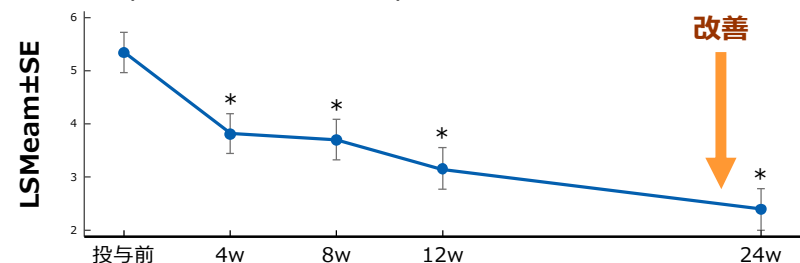
投与方法：

喉頭注射針 (a) を用いて
声帯局所に注射する (b)

VHI-10 (被験者による主観的評価)

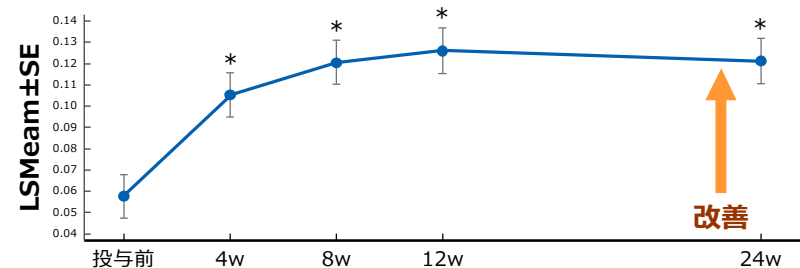


GRBAS (第三者による聴覚的評価)



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 今後の開発計画

声帯癬痕を対象とした臨床開発

● 第Ⅱ/Ⅲ相試験計画

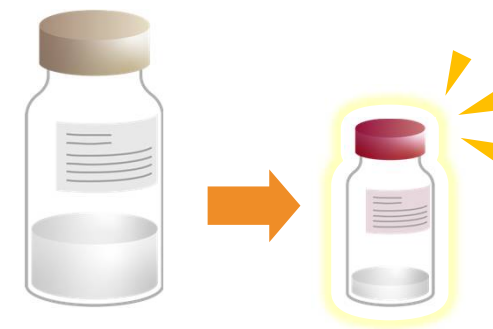
- 試験デザイン： 多施設共同、無作為化、プラセボ対照、二重盲検、並行群間比較試験
- 対象患者： 声帯癬痕患者
- 用法： 前相用量 (1、3、10 μ g/片側声帯/回) をベースにPMDAと協議して決定
1回投与/週、計4回、両側声帯粘膜内局所投与
- 実施施設： 京都府立医科大学、他複数施設

※ 現時点での当社の計画案であり、当該試験の詳細はPMDAと協議の上、変更される可能性があります。

声帯癬痕用治験薬の製造と市販製剤の開発

- 市販用の少量製剤の検討
- 市販スケールでの製造検討及び各種試験を実施

※ 声帯癬痕に対する投与用量は神経系の疾患と比較して10分の1以下であり、声帯癬痕の臨床試験では、脊髄損傷急性期及びALSの臨床試験に使用されている製剤と同じものを希釈して使用するものの、市販に向けては声帯癬痕用の少量製剤が必要になります。

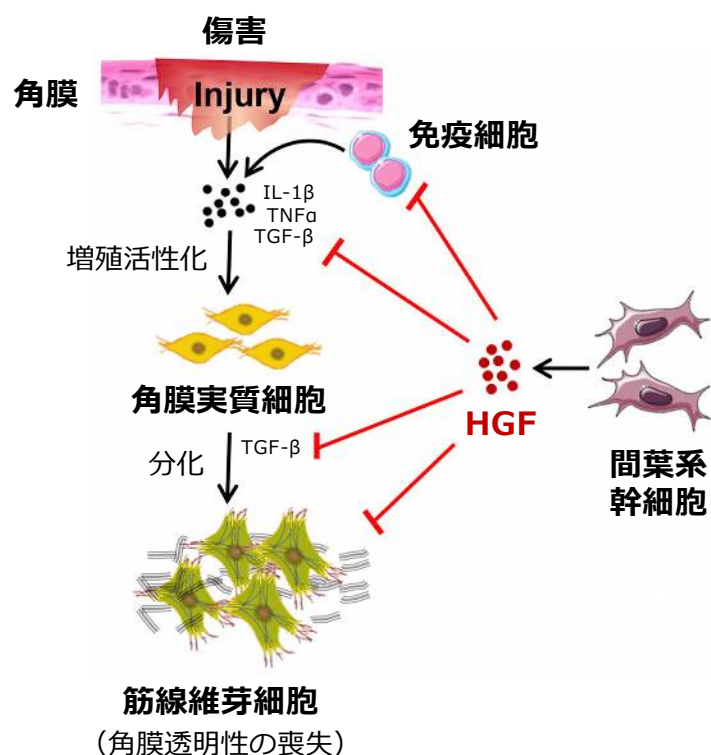


ビジネスモデル C : クラリス社への原薬供給による眼科領域での開発

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
 - 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5月** クラリス社が米国でIND申請 神経栄養性角膜炎を対象とする第 I / II 相試験
 - **2021年8月** 第 I / II 相試験の第一例目投与 これを起点として、当社はクラリス社より毎年定額の技術アクセスフィーを受領
 - **2022年7月** カナダでも第 I / II 相試験開始

2022年9月期第3 四半期決算概況

2022年9月期第3四半期の主なニュースリリース（後発事象を含む）

年月	ニュースリリース
2022年4月	AMED CiCLE 事業開始「組換え HGF タンパク質を用いた難治性線維症治療薬の開発」
2022年4月	脊髄損傷急性期を対象とする希少疾病用医薬品試験研究助成金の 2021 年度交付額決定（8千万円）
2022年5月	脊髄損傷急性期を対象とする第Ⅲ相試験の治験期間を6か月延長
2022年6月	Oremepermin Alfa が米国一般名称として登録
2022年6月	脊髄損傷急性期を対象とする希少疾病用医薬品試験研究助成金の2022 年度交付決定
2022年7月	京都大学とHGFの再生医療への応用研究に関する共同研究開始
2022年7月	声帯癒痕プロジェクトを推進するための資金調達完了（MSワラントの行使完了）
2022年7月	東京医科歯科大学との共同研究の進捗（潰瘍性大腸炎に対する自家腸上皮オルガノイド移植による臨床研究において第1例目が実施）
2022年7月	クラリス社がカナダで神経栄養性角膜炎を対象とする第Ⅰ/Ⅱ相試験を開始
2022年8月	ALSを対象とする第Ⅱ相試験（医師主導治験）に関するお知らせ（速報）

2022年9月期業績予想の修正

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2022年9月期 通期業績 【前回予想】 2021年11月12日	2022年9月期 通期業績 【修正予想】 2022年8月12日	増減	主な増減理由
売上	355	357	2	● クラリス社へのHGF原薬供給は当初の見込どおり
売上原価	138	88	△50	● 一部研究用原薬を販売
販売管理費	1,574	766	△808	● 研究開発費の減少
研究開発費	1,325	570	△755	● 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	△1,357	△497	860	
営業外損益	62	77	15	● 円安伸展による為替差益の発生
経常損失	△1,295	△419	875	
法人税等	1	1	—	
当期純損失	△1,297	△421	875	

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

2022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)

	2021年9月期 第3四半期	2022年9月期 第3四半期	2022年9月期第3四半期 内容	2022年9月期 通期業績 【修正予想】
売上	117	112	● クラリス社からの技術アクセスフィー及びHGF原薬供給	357
売上原価	—	—		88
販売管理費	422	495		766
研究開発費	289	348	● 脊髄損傷及びALSの治験費用 ● 声帯癒痕の治験準備費用 ● 製造開発に係る各種試験費用	570
営業損失	△304	△383		△497
営業外費用	22	8	● 新株予約権発行費用	8
経常損失	△245	△305		△419
法人税等	1	1		1
四半期純損失	△246	△306		△421

2022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)

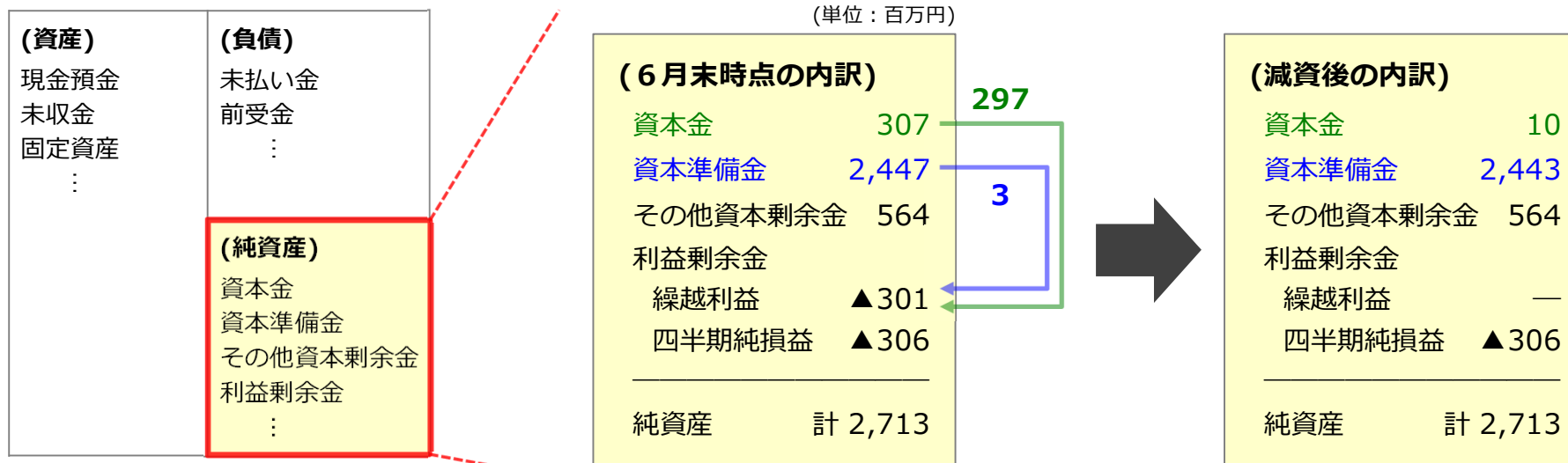
	2021年9月期 期末	2022年9月期 第3四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	2,634	3,012	377	● 現預金及びたな卸資産の増加
現預金	2,137	2,448	310	● MSフロント資金調達による増加 ● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	2	1	
資産合計	2,635	3,015	379	
流動負債	127	45	△81	● 製造開発に係る未払金の減少
固定負債	2	256	254	● CiCLEに伴う長期預り金の発生
負債合計	129	302	172	
純資産合計	2,506	2,713	207	● MSフロント新株発行による資本増加 ● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,635	3,015	379	
自己資本比率	95.1%	89.9%		

無償減資について

2022年8月26日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、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



発行済株式総数及び純資産額は変わりません

株主の皆様の所有株式数や1株当たり純資産額(522.12円)に影響はありません

当社が発行している新株予約権が、減資の効力発生日(2022年9月13日)までに行使された場合、資本金並びに資本準備金の額、及び減少後のそれぞれの額が変動いたします

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/>**

Appendix

脊髄損傷の主な競合品（第Ⅱ相以上）

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ	対象疾患、投与方法
ニプロ	条件期限付き承認	日本	『ステミラック注』	自己骨髄間葉系幹細胞	対象疾患：脊髄損傷亜急性期 投与方法：点滴静注
当社	第Ⅲ相	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：脊髄腔内投与 ※日本でオーファン指定
Eusol Biotech	第Ⅲ相	台湾	ES135 (rhFGF1)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：脊髄損傷急性期～慢性期 投与方法：フィブリン糊と共に損傷部位に投与
AbbVie	第Ⅱ相	Global	ABT-555 (Elezanumab)	抗RGMa抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：静脈内投与 ※USでオーファン及びファストトラック指定
田辺三菱	第Ⅱ相	Global	MT-3921	抗RGMa抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：静脈内投与 ※USでファストトラック指定
University of Zurich	第Ⅱ相	欧州	NG-101	Nogo A抗体	対象疾患：脊髄損傷急性期 投与方法：脊髄腔内投与
Lineage Cell Therapeutics	第Ⅰ/Ⅱa相 (終了)	US	OPC1	オリゴデンドロサイト前駆細胞	対象疾患：脊髄損傷亜急性期 投与方法：Neurgain PSD systemによる投与 ※USでオーファン指定



ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ	対象疾患、投与方法
サノフィ (後発品多数)	承認	Global	リルゾール	グルタミン酸拮抗剤 低分子化合物	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
田辺三菱	承認	日、米等7か国 (欧州取下げ)	エダラボン	フリーラジカル消去剤	対象疾患：脳梗塞急性期、ALS 投与方法：点滴静注 ※エダラボンの経口混濁剤US承認、JP/スイス承認申請
Amylyx Pharmaceuticals	承認 申請 第Ⅲ相	カナダ US EU	AMX0035 (sodium phenylbutyrate + taurursodiol)	肝・胆・消化機能改善剤, 尿素サイクル異常症治療薬	対象疾患：ALS（アルツハイマーでP2） 投与方法：経口投与
Biogen	申請 第Ⅲ相 (終了)	US Global	BIIB067 (tofersen)	SOD1遺伝子のアンチセン ス遺伝子治療	対象疾患：SOD1変異による家族性ALS 投与方法：脊髄腔内投与 ※主要評価項目は未達(10/17/2021)であったが、USで承認申請、優先審査指定(7/29/2022)
イーザイ/徳島大学	第Ⅲ相 (終了)	日本	E0302 (高用量メチルコバラミン)	活性型ビタミンB12	対象疾患：ALS、投与方法：筋肉注射 ※国内でオーファン指定、2023年度中に承認申請予定
Ferrer	第Ⅲ相	EU	エダラボン (FNP122/FAB122)	フリーラジカル消去剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
AB Science	第Ⅲ相	US, ドイツ	AB19001 (masitinib)	経口キナーゼ阻害剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
Brainstorm-Cell Therapeutics	第Ⅲ相	US	NurOwn (MSC-NTF cells)	自家骨髄間葉系幹細胞	対象疾患：ALS、投与方法：脊髄腔内投与
MediciNova	第Ⅲ相	US, カナダ	MN-166 (ibudilast)	Leukotriene D4 (LTD4) 阻害剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
Cytokinetics	第Ⅲ相	Global	Reldesemtiv	Troponin stimulant	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与
当社/東北大学	第Ⅱ相	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：ALS、投与方法：脊髄腔内投与