



2023年9月期第1四半期決算について

2023年2月10日

クリングルファーマ株式会社
(東証グロース：4884)

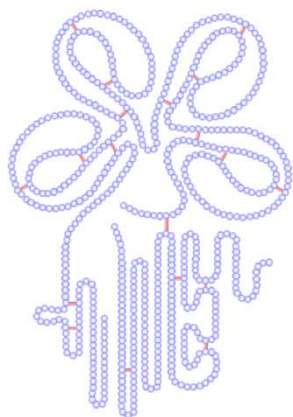
本資料の取り扱いについて

- 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**
 - 2023年9月期第1四半期のトピックス
 - 脊髄損傷急性期
 - 声帯癒痕
 - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **2023年9月期第1四半期決算概況**
 - 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

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	59百万円 (2022年9月末時点)
役員数	取締役7名、監査役3名
従業員数	13名 (2022年9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
- レイトステージのパイプライン
 - 第Ⅲ相試験 脊髄損傷急性期*
声帯癒痕
 - 第Ⅱ相試験 ALS
 - 第Ⅰ相試験 急性腎障害

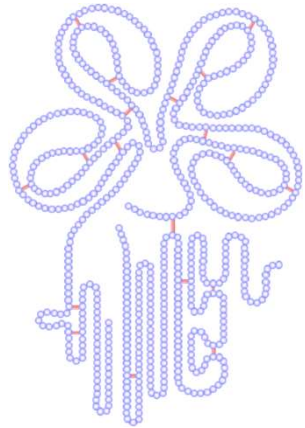


HGF再生治療薬の プラットフォーマー

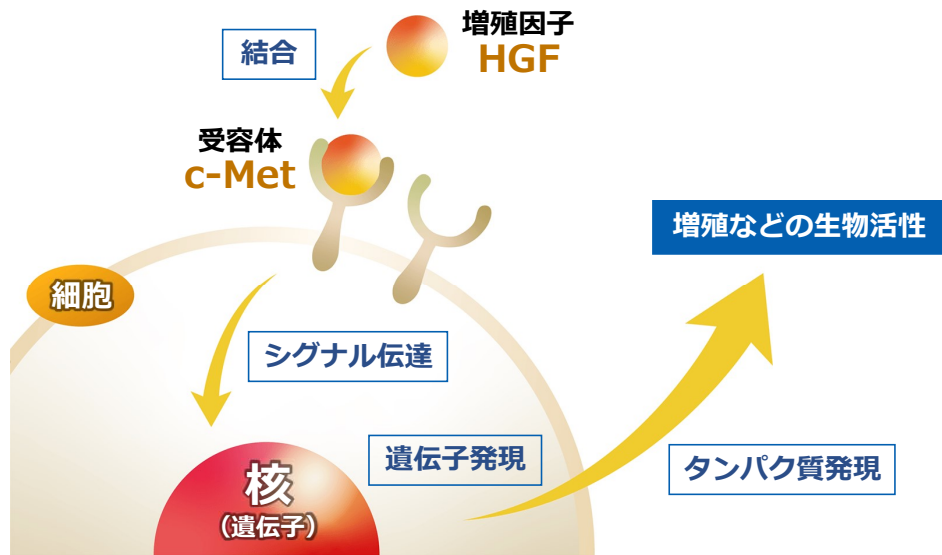
- 組換えHGFタンパク質：ファースト・イン・クラスの開発シーズ
- 医薬品としての製造・量産体制を確立
- 多くの疾患への適応拡大による成長可能性
 - 米国クラリス社への原薬供給により、同社は神経栄養性角膜炎を対象に第Ⅰ/Ⅱ相試験実施中

* 希少疾病用医薬品指定番号：(31薬)第442号

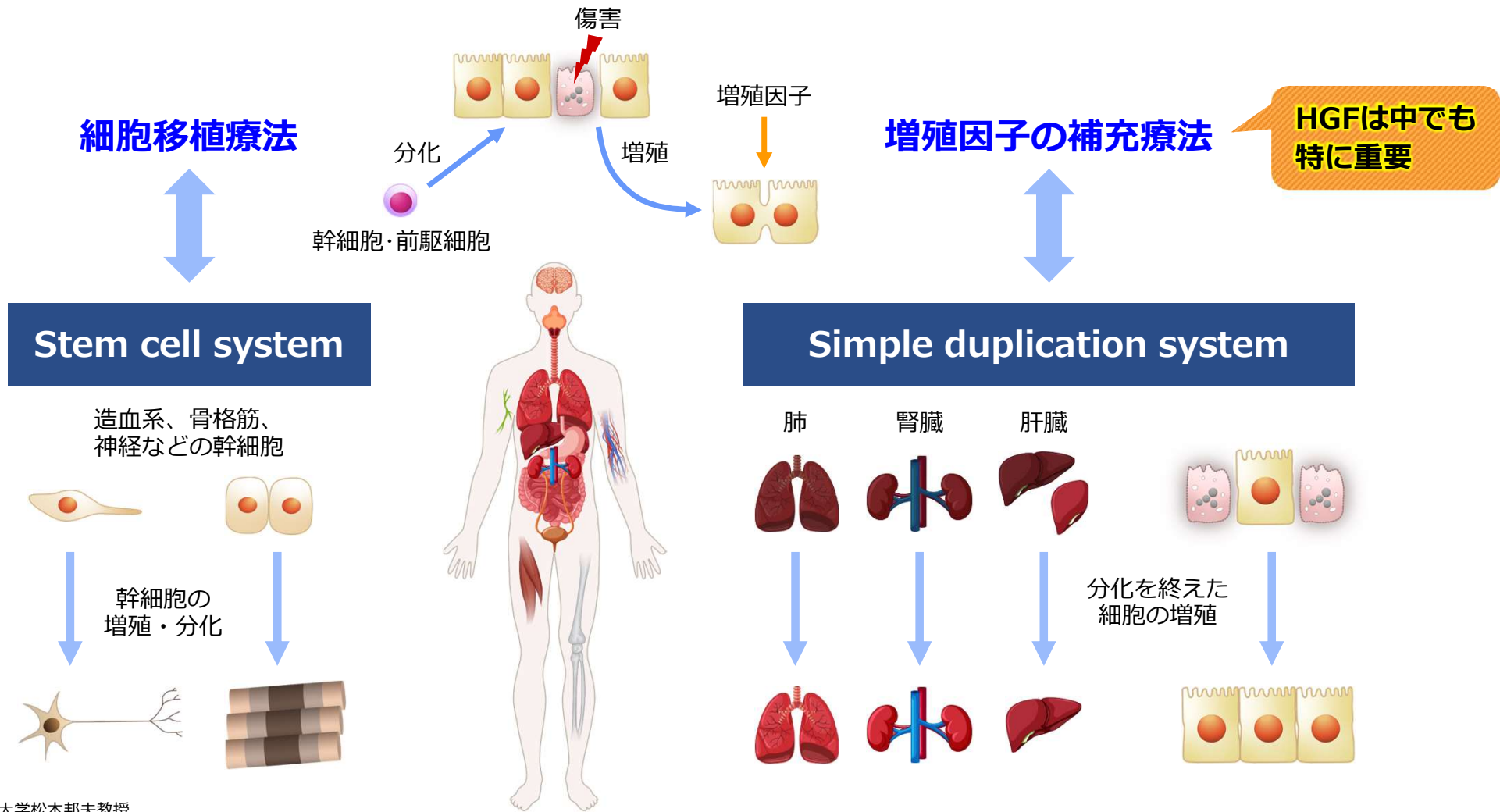
HGF（肝細胞増殖因子） ～難治性疾患の再生治療薬～



- 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）、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」



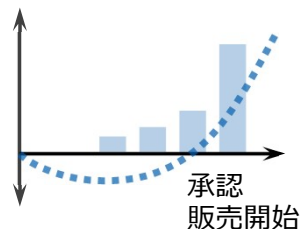
再生医療 – 生体の再生を支える2つのシステム –



出典：金沢大学松本邦夫教授

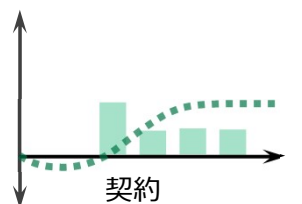
ハイブリッドビジネスモデルの優位性

A 自社開発・販売モデル



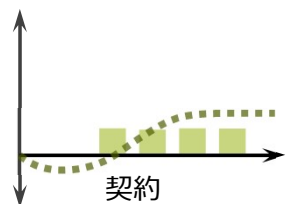
当社の目指す最終形態
長期的な売上拡大

B 導出・共同開発モデル



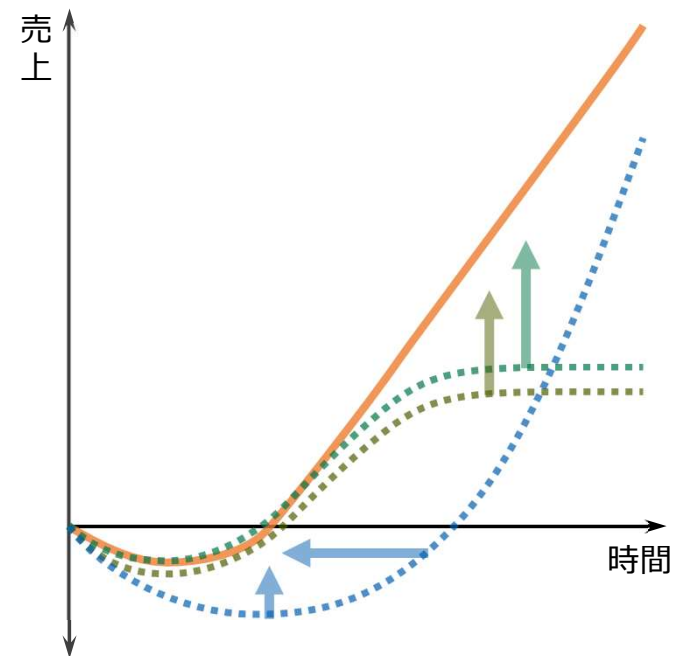
短期的、散発的な売上

C 原薬供給モデル



継続的な売上

Aを基本方針としつつ、B及びC
とハイブリッド化することにより、
中長期的な収益の最大化を図る

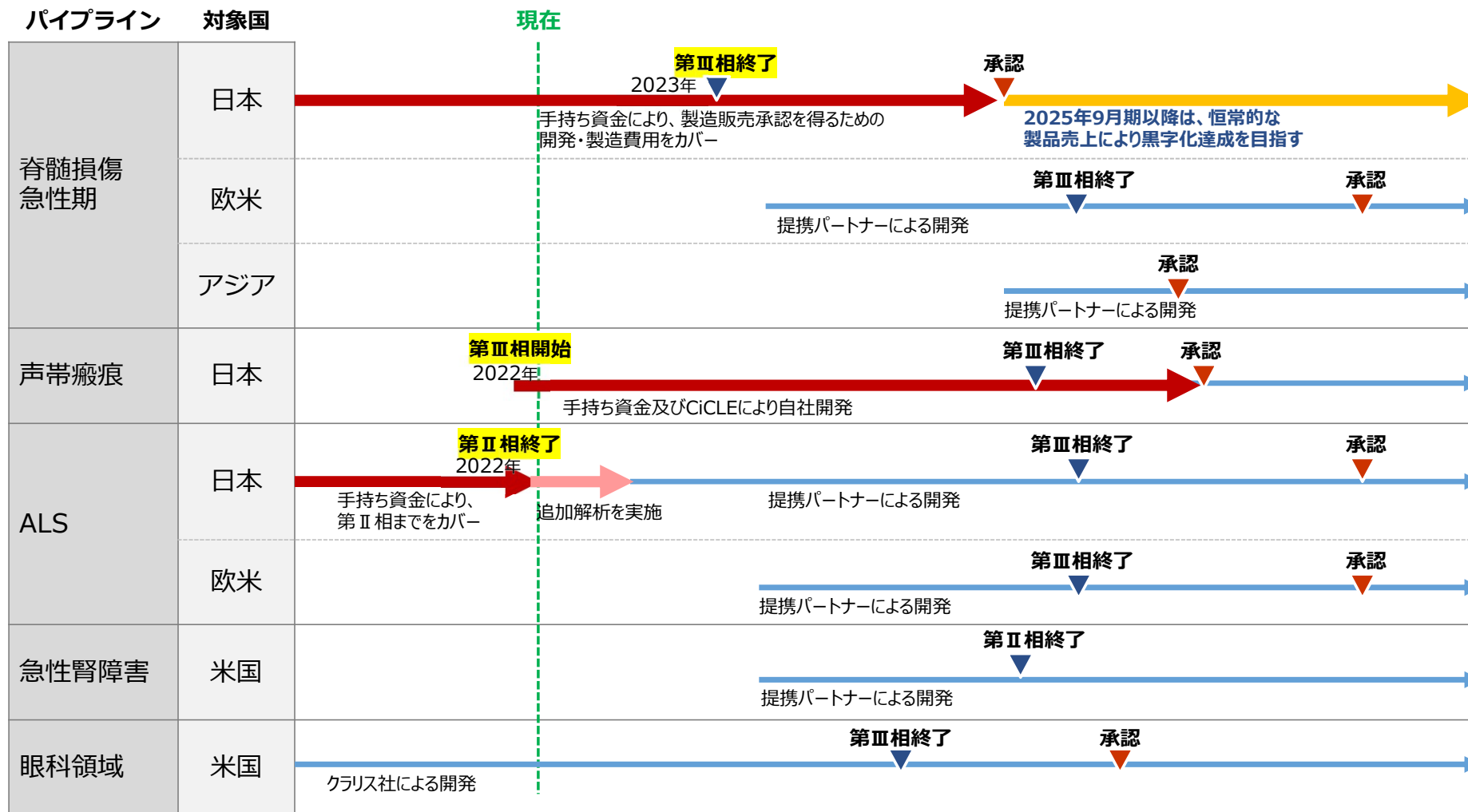


開発パイプラインの概要

- 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：2件、第Ⅱ相：1件)
- **脊髄損傷急性期、声帯癒痕及びALS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年後半終了予定	
A+B	2	声帯癒痕	第Ⅰ/Ⅱ相試験(オープンラベル用量漸増試験、医師主導治験)終了、第Ⅲ相試験(プラセボ対照二重盲検比較試験)組入れ開始	終了		実施中	2022年11月開始	
B	3	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)終了、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	終了		追加解析実施予定	
B	4	急性腎障害	第Ⅰa, b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。

患者数と市場規模

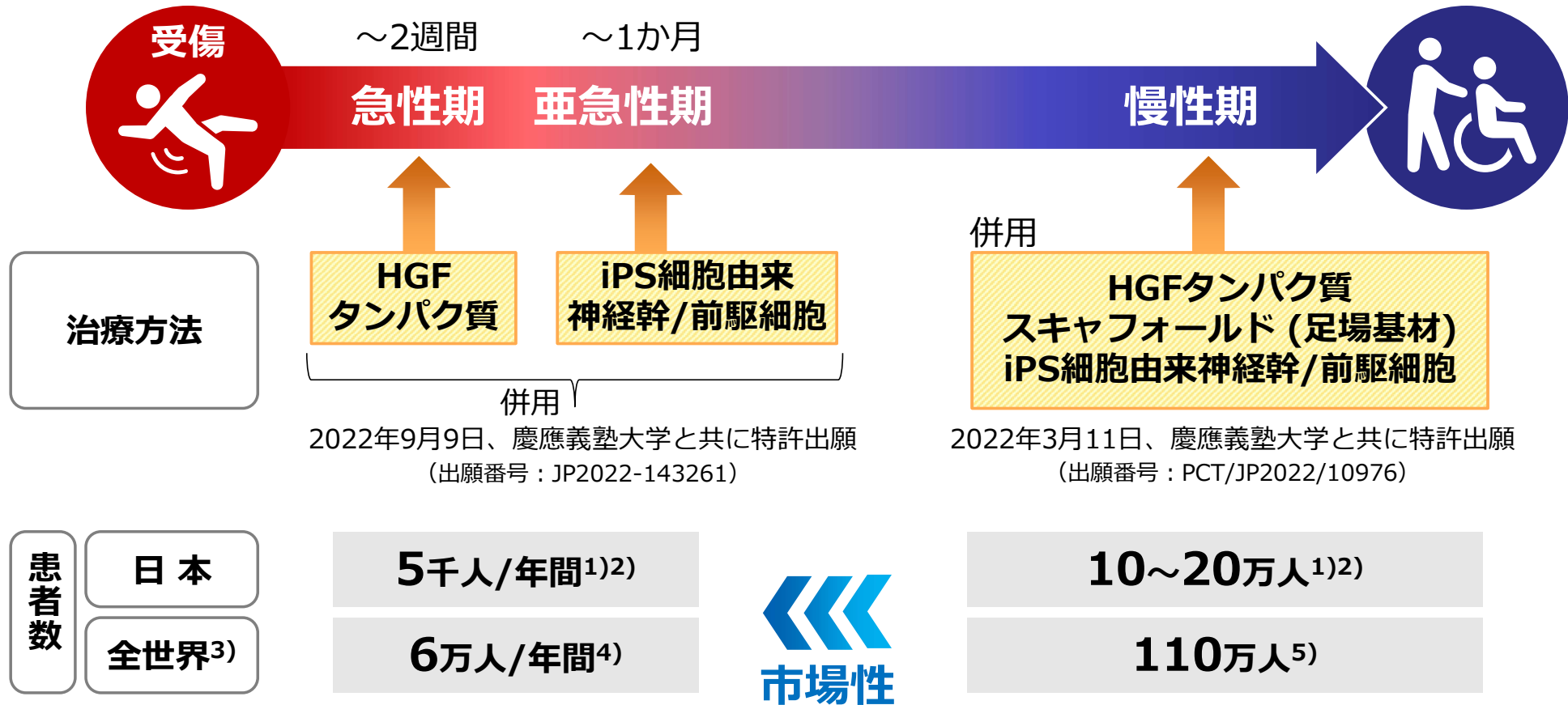
	対象疾患	患者数*1		競合品	HGFタンパク質製剤 市場規模*3
		日本	全世界*2		
神経系疾患	脊髄損傷 急性期	5,000人	60,000人	ステミラック、 細胞治療など ※HGFと併用可能と推定	国内： ~100億円 海外： ~500億円
	ALS	9,800人	85,000人	リルゾール、 エダラボンなど ※HGFと併用可能と推定	国内： ~200億円 海外： ~1,000億円
線維化疾患	声帯癒痕	12,000人	100,000人	喉頭形成術など (効果は限定的) ※薬剤治療はHGFのみ	国内： ~50億円 海外： ~300億円

*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

脊髄損傷急性期から慢性期への展開



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

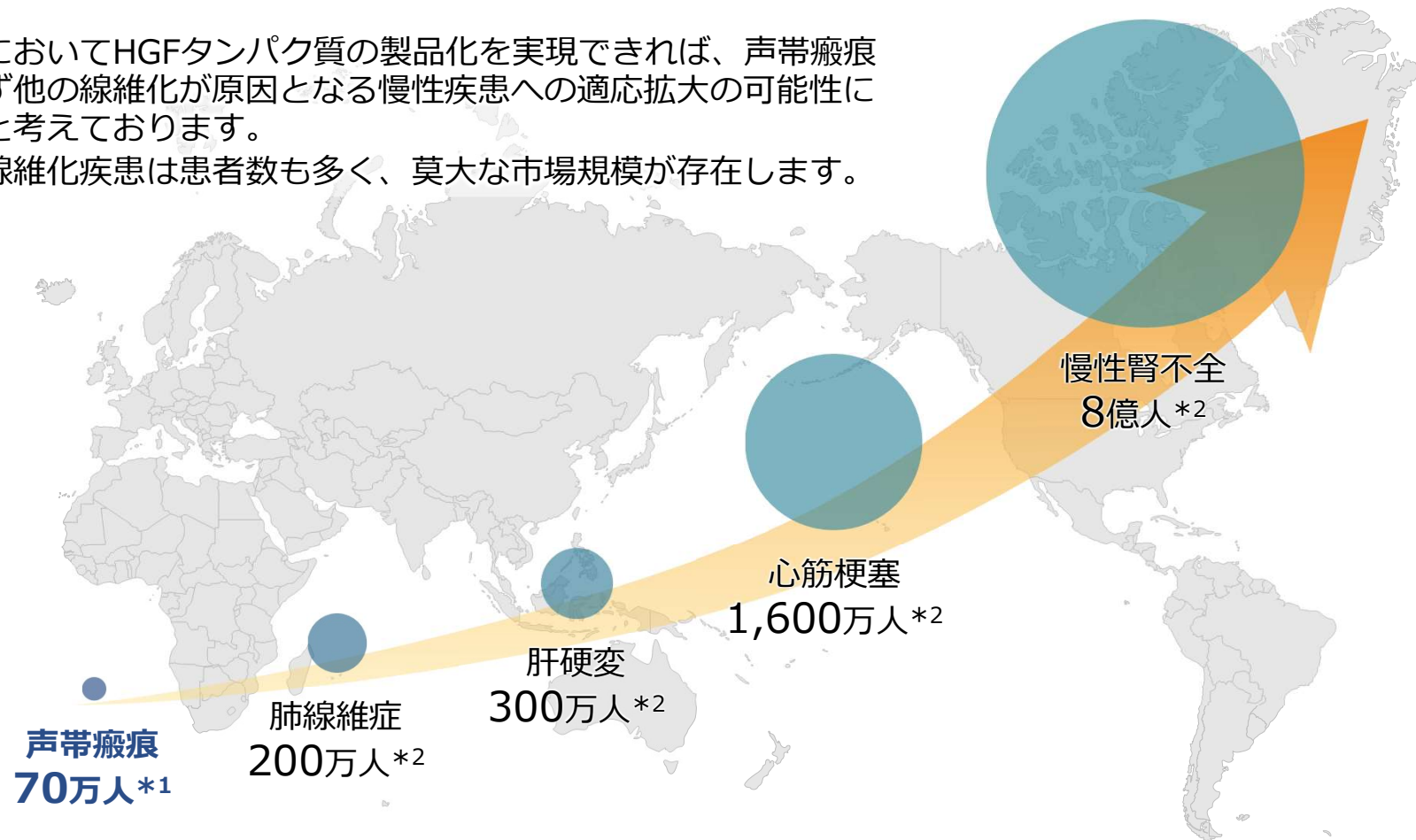
4) 国内の患者数、Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2021)、総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

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

声帯癬痕から他の線維化疾患への展開

声帯癬痕においてHGFタンパク質の製品化を実現できれば、声帯癬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。

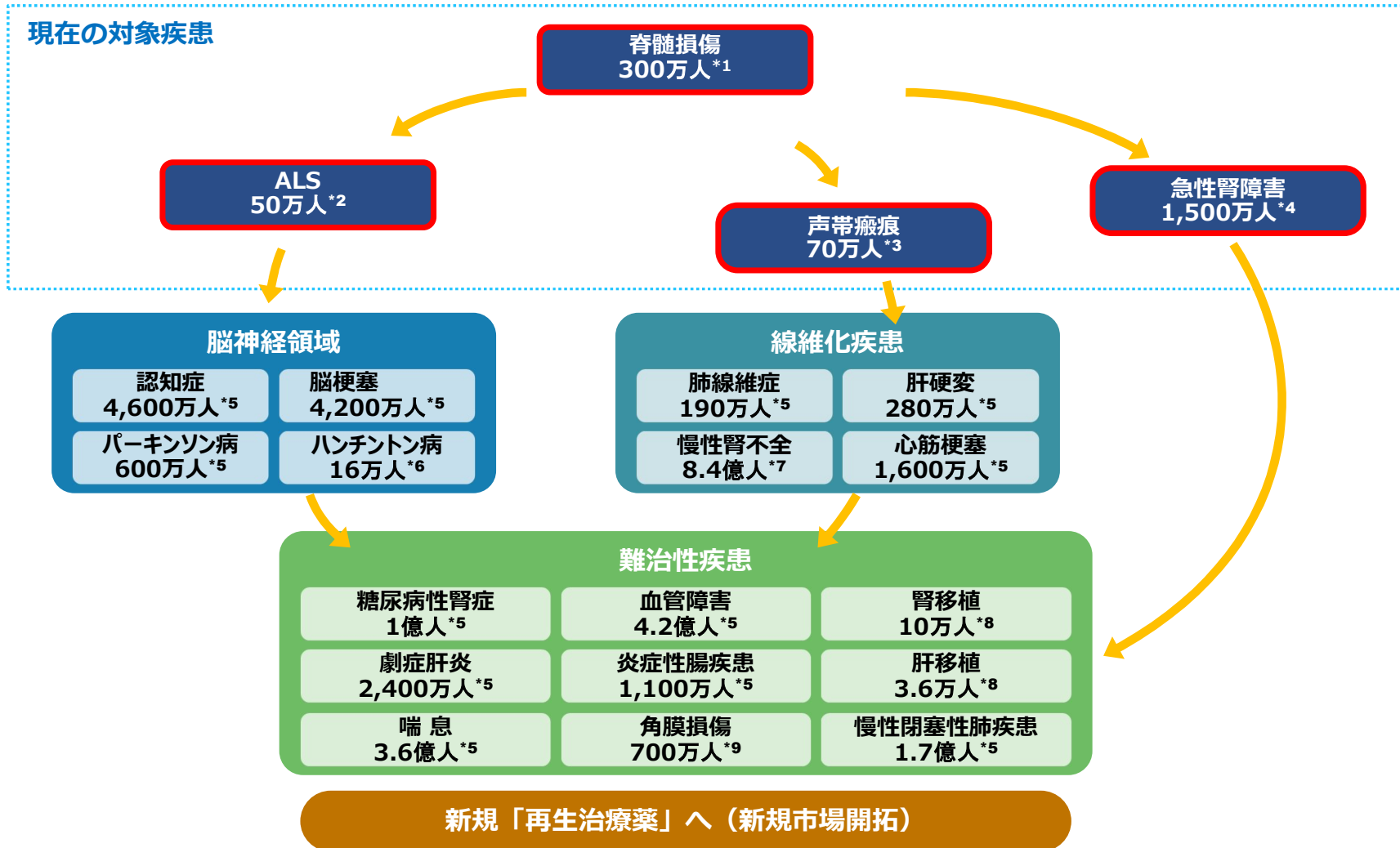
これらの線維化疾患は患者数も多く、莫大な市場規模が存在します。



*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.

HGF再生治療薬の適応拡大の可能性/全世界での対象患者数



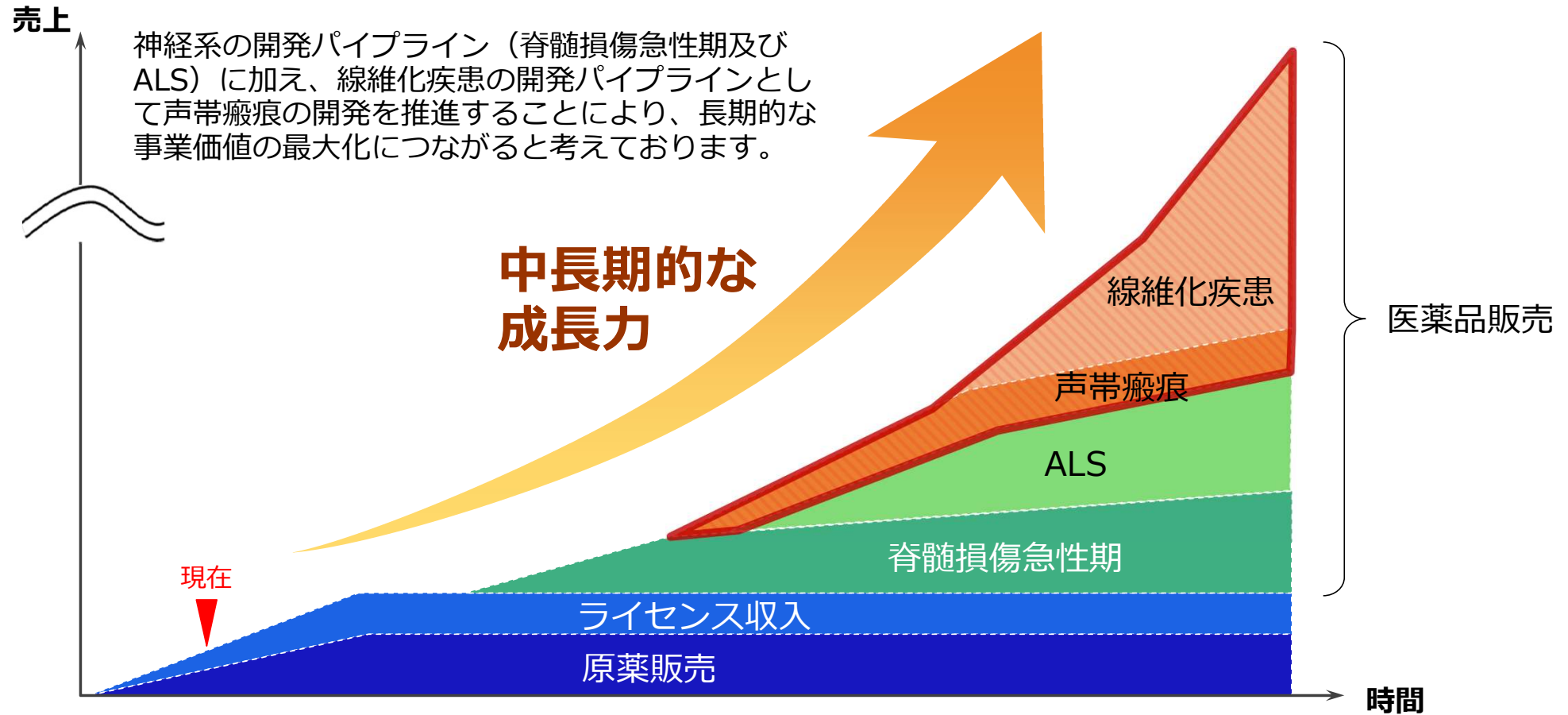
HGF再生治療薬の適応拡大の可能性/全世界での対象患者数（参考文献）

<参考文献>

- *1: The global map for traumatic spinal cord injury epidemiology, update 2011, global incidence rate. Spinal Cord (2014) 52, 110–116
- *2: The epidemiology of amyotrophic lateral sclerosis, Handbook of Clinical Neurology. 2016;138:225-38.
- *3: 「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」における国内の有病率を基に当社算出
- *4: KDIGO Clinical Practice Guideline for Acute Kidney Injury : Online Appendices A-F. Kidney Int Suppl 2 : 1—132, 2013.
- *5: 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.
(劇症肝炎は急性肝炎として記載)
- *6: The incidence and prevalence of Huntington's disease: a systematic review and meta-analysis. 2012 Aug;27(9):1083-91.
- *7: Epidemiology of chronic kidney disease: an update 2022. Kidney International Supplements (2022) 12, 7–11.
- *8: 移植の国際状況. 『移植』 Vol. 56, No. 2
- *9: Centers for Disease Control and Prevention. Estimated Burden of Keratitis –Unites States,2010
(角膜損傷は、難治性の角膜損傷として角膜潰瘍の患者数を記載)

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



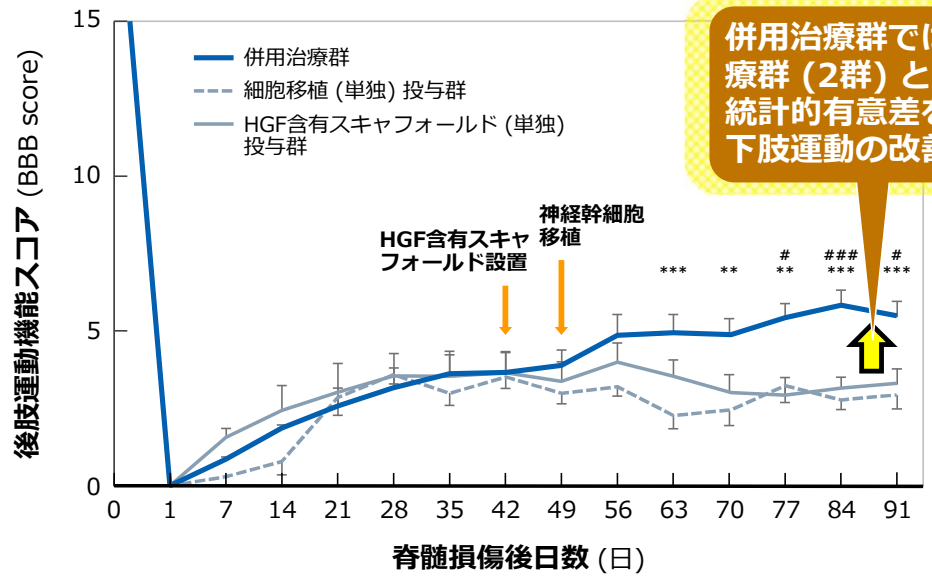
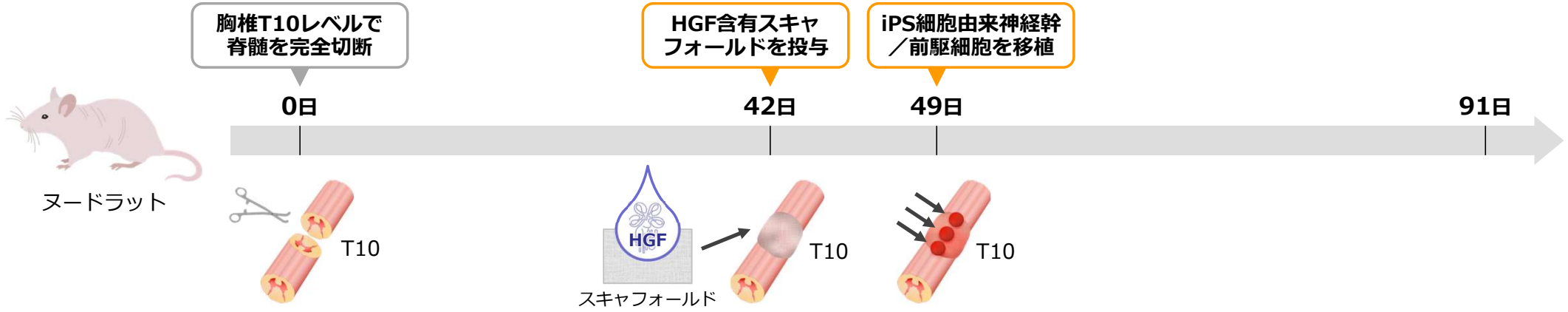
* イメージ図であり、本グラフどおりに進行することを保証するものではありません。

開発パイプラインの進捗状況

2023年9月期第1四半期の主なニュースリリース（後発事象を含む）

年月	トピックス
2022年10月	声帯癒痕に対する HGFの第Ⅲ相臨床試験：PMDAに治験計画届を提出
2022年11月	HGF の新たな製造方法に関する特許出願「活性型HGFの製造方法」
2022年11月	2023年1月より、薬事申請業務及び薬事監査業務を主管する「薬事部」を新設
2022年11月	声帯癒痕に対する HGFの第Ⅲ相臨床試験：京都府立医科大学附属病院において治験開始
2023年1月	脊髄損傷急性期に対するHGFの第Ⅲ相臨床試験：目標症例数の9割超を組入れ完了
2023年1月	声帯癒痕に対する HGFの第Ⅲ相臨床試験：第一例目の症例登録
2023年2月	慢性期完全脊髄損傷に対する複合治療研究成果の論文掲載

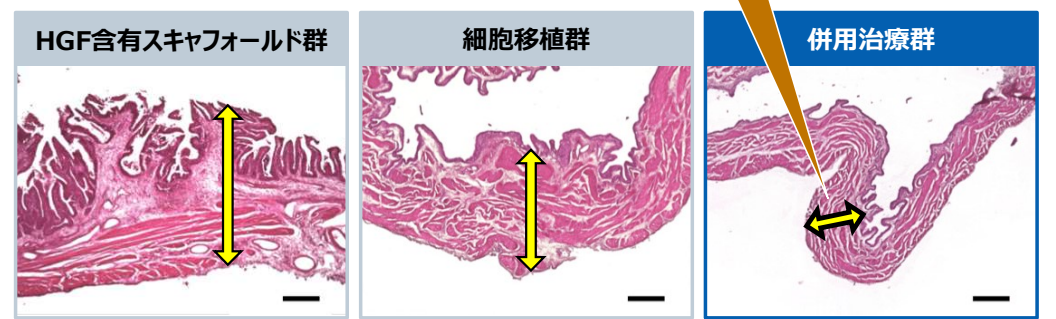
慢性期完全脊髄損傷ラットモデルにおけるHGFと細胞移植の併用効果



併用治療群では、単独治療群 (2群) と比較して、統計的有意差を持って下肢運動の改善を認めた

世界で初めて成功

併用治療群では、単独治療群 (2群) と比較して統計的有意差をもって最大膀胱壁厚の減少 (排尿機能改善) を認めた



Hashimoto et al, Biomaterials, 295 (2023) 122002.

開発パイプライン

－ 脊髄損傷急性期 －

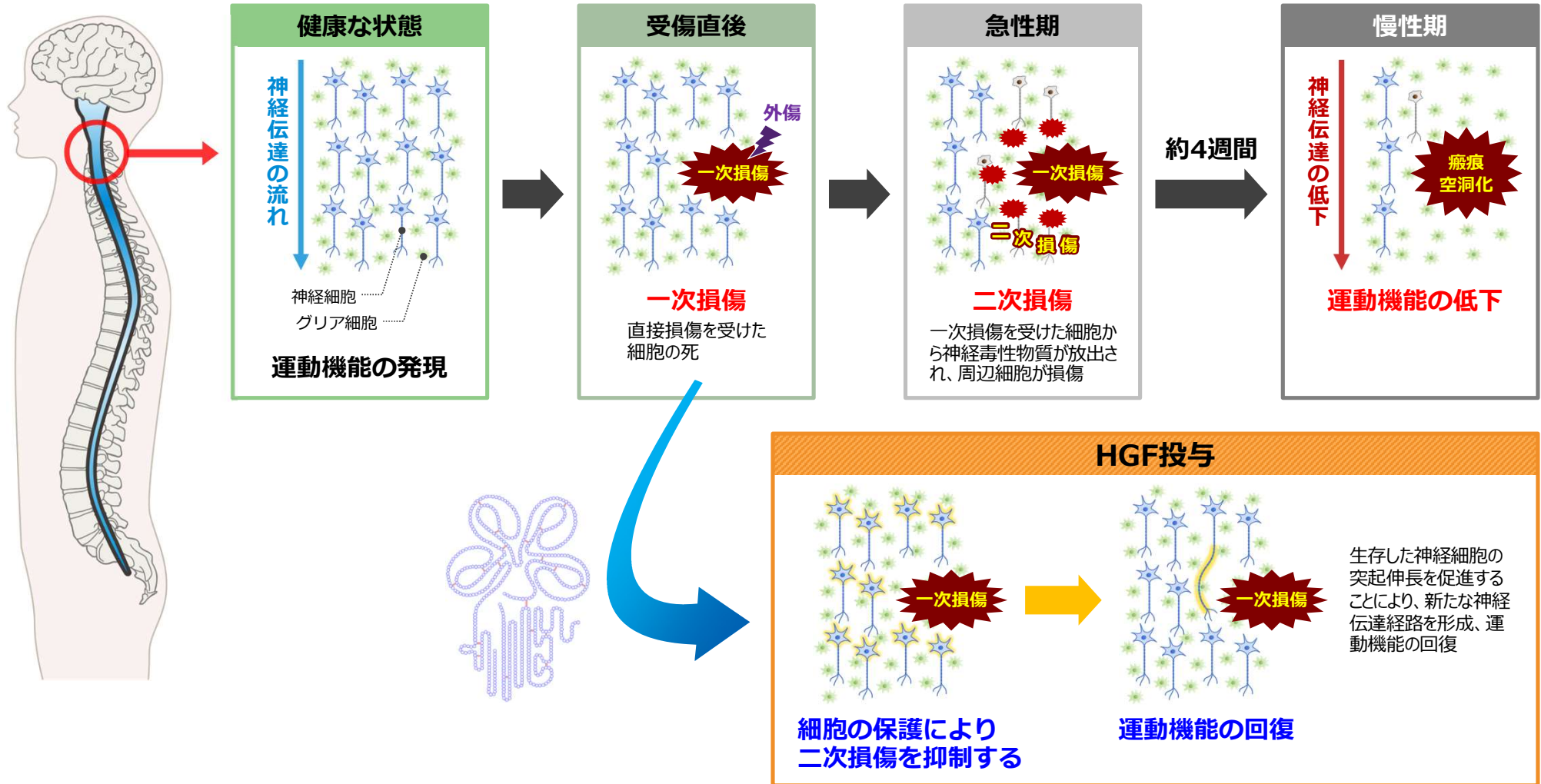
疾患の特徴

- 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・感覚神経の傷害
- 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**
 - － 各種細胞治療は亜急性期
 - － 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

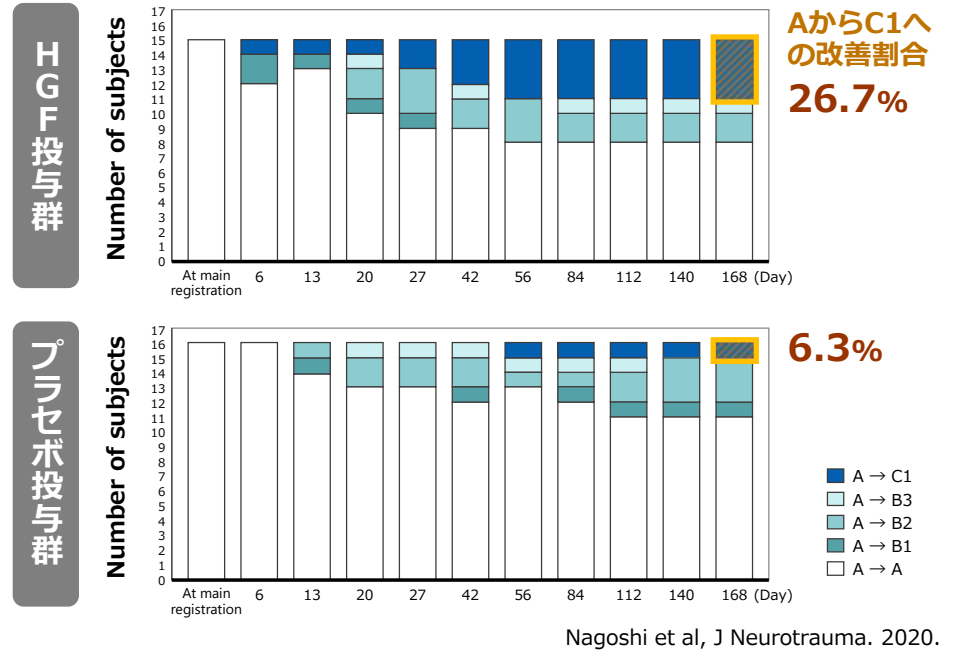


プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

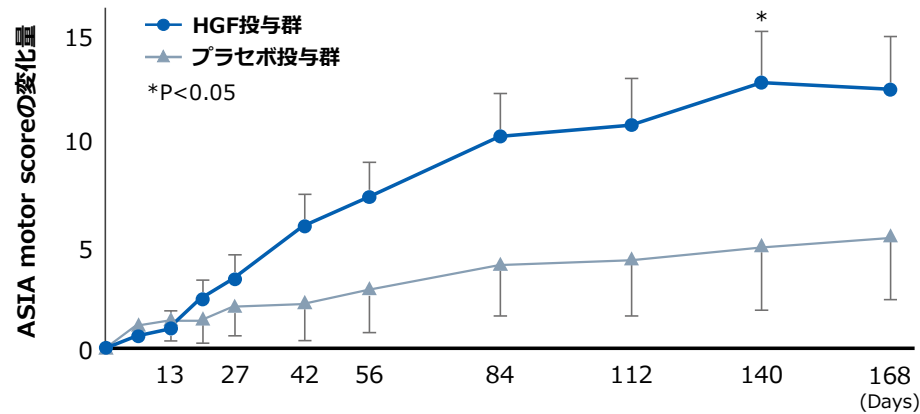
HGF投与群：28症例 / プラセボ投与群：17症例

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*)

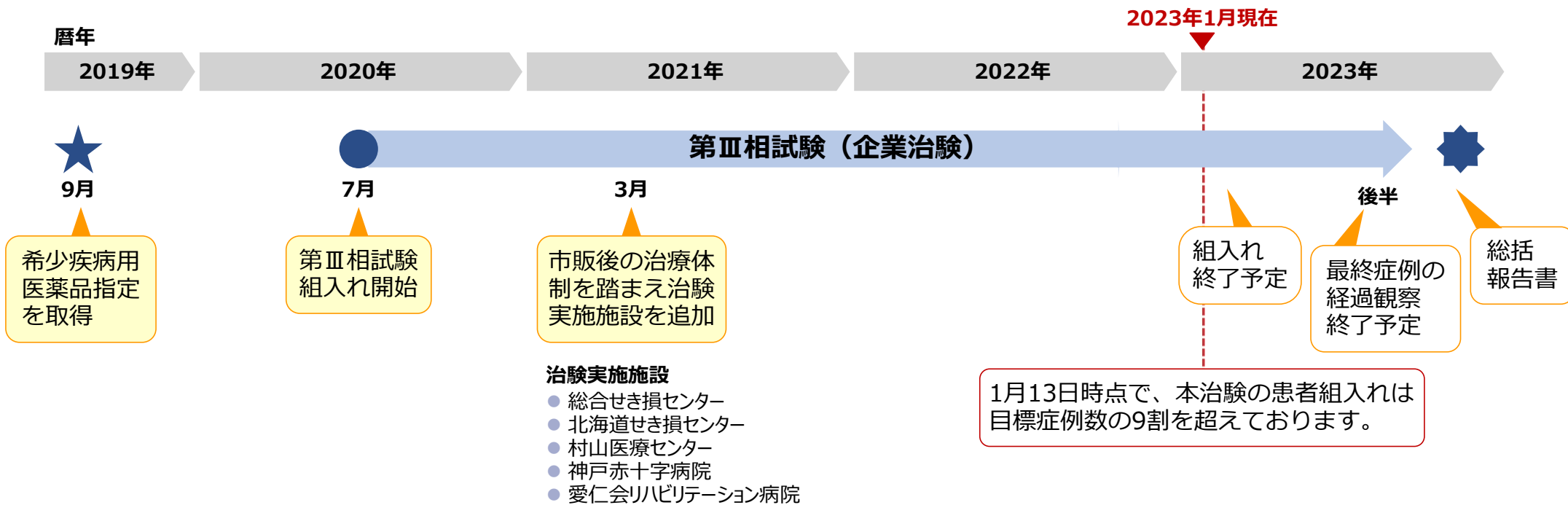
* 出典: 日本の希少疾病用医薬品の指定要件の現状に関する研究 医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No. 70 (2017)

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



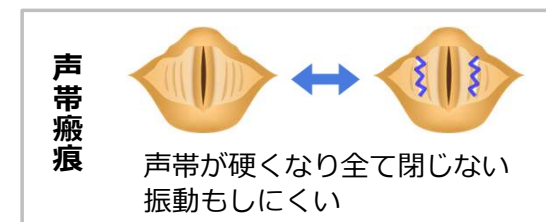
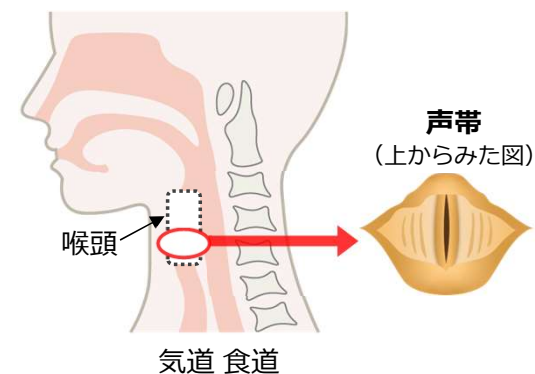
開発パイプライン - 声帯癒痕 -

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

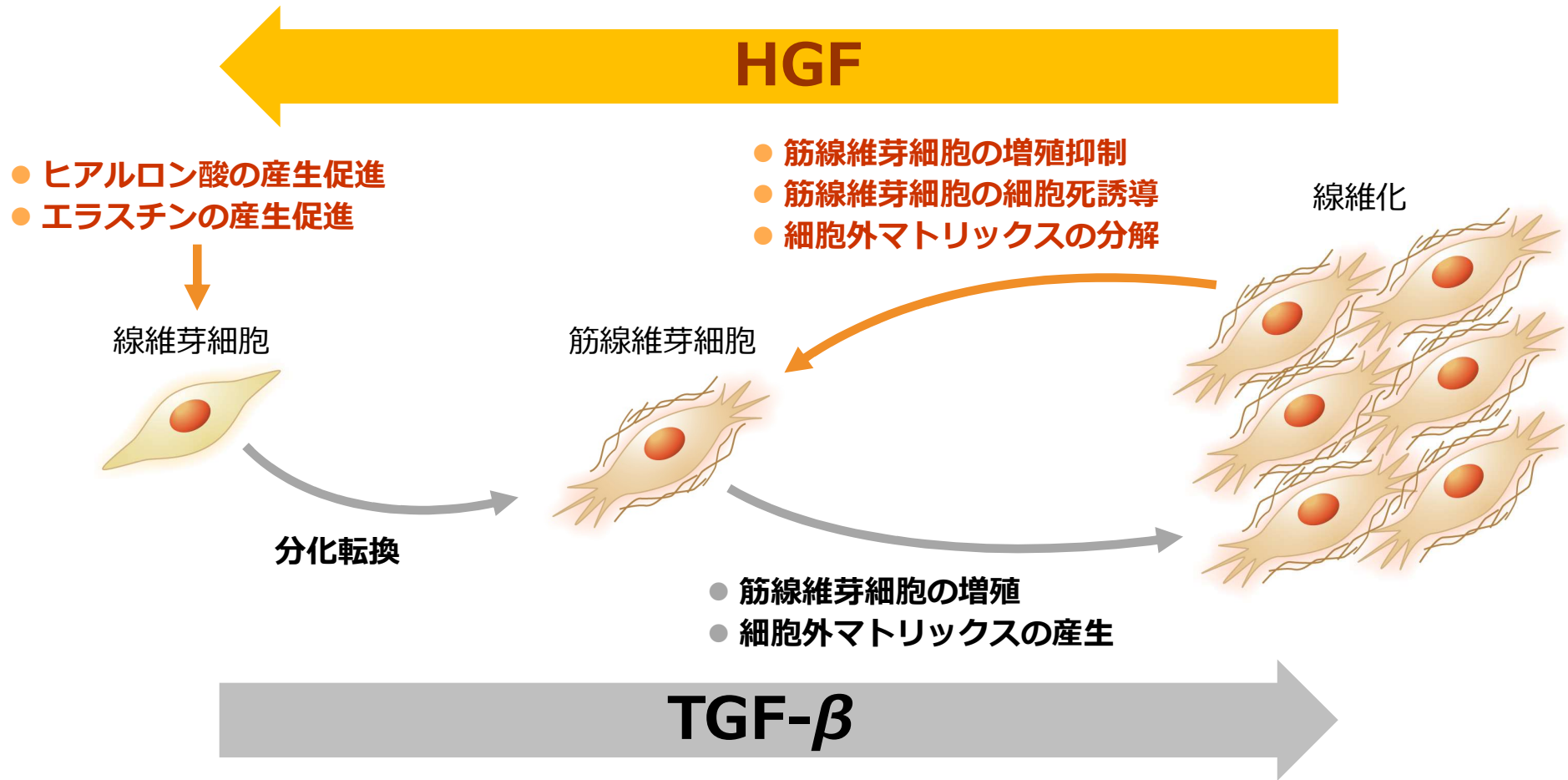
- 先天性、後天性 (炎症・外傷に起因) の慢性難治性疾患
- 声帯粘膜の線維化により声帯が硬く変性し、発声が困難になる
- 患者数* : 3,000~12,000人 (日本)、3~12万人 (全世界)
- 有効な治療法はない



* 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



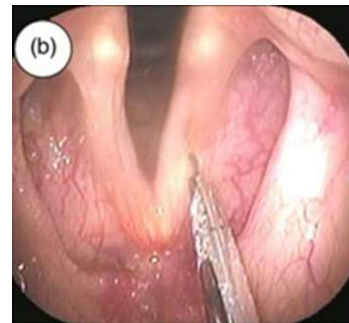
声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果

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

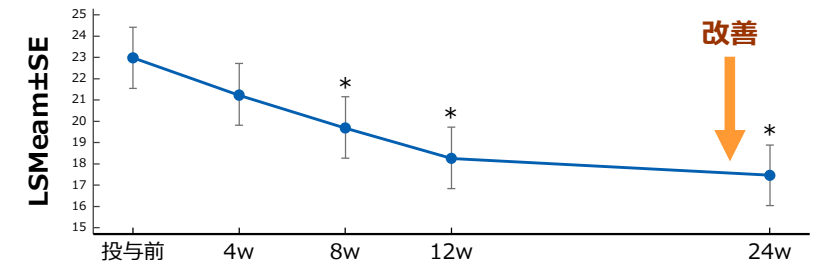
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1 μ g、3 μ g、10 μ g/片側声帯/回 1回/週、計4回、 両側声帯粘膜内局所投与
主要評価項目	安全性 \Rightarrow 良好であった
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 \Rightarrow 有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた



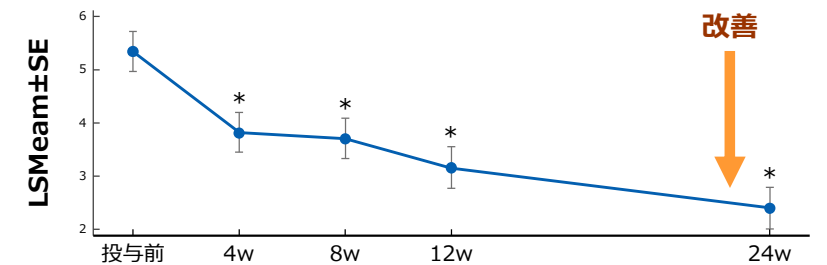
投与方法:

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)

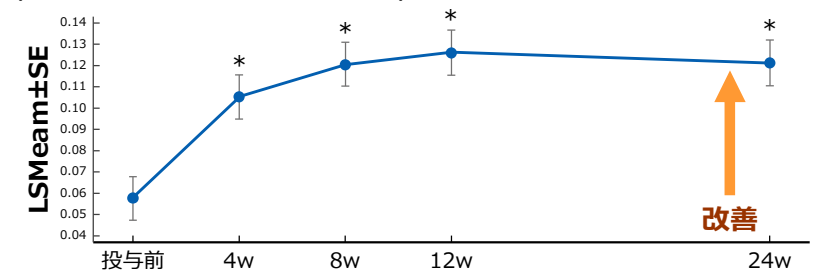


GRBAS (第三者による聴覚的評価)



Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)



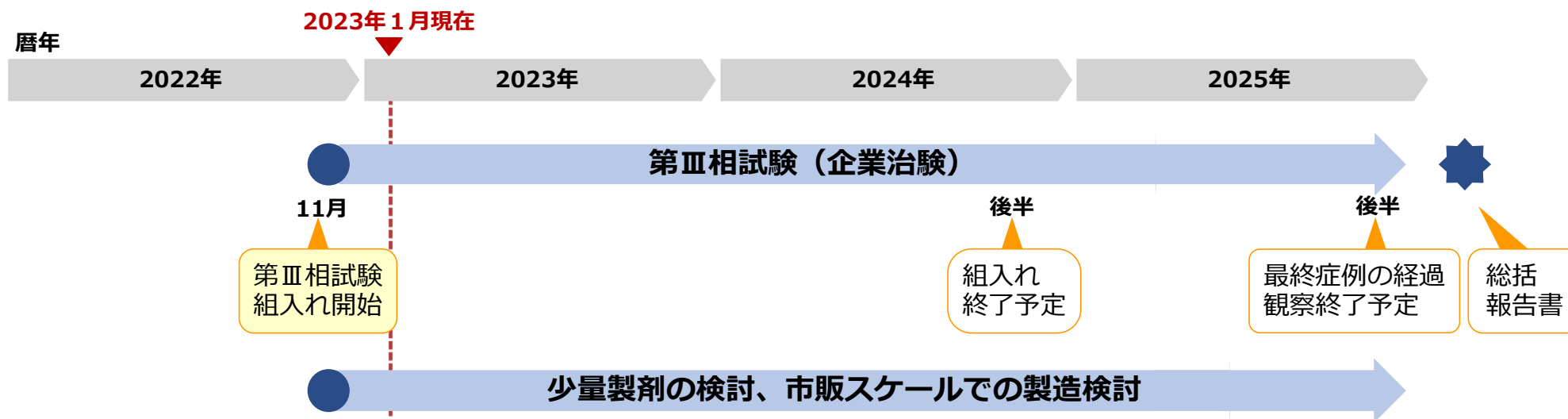
Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

声帯癬痕 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： 多施設共同ランダム化試験
- 目標症例数： 62症例（HGF及びプラセボ投与群、各群31症例）
- 対象患者： 声帯癬痕（声帯溝症を含む）患者、年齢：18～75歳
- 用法：
【二重盲検期】声帯粘膜内投与（週1回×4回）、観察期間：24週間
【継続期】希望する患者にはHGFを投与（週1回×4回）、継続観察期間：24週間
- 主要評価項目： 二重盲検期の観察期間24週目におけるVHI-10*スコア改善率
- 実施施設： 京都府立医科大学附属病院を含む国内5施設（予定）



* Voice Handicap Index-10：10項目の質問から、自分の声をハンディキャップと感じている程度を患者本人がスコア化する。各質問は、0（障害なし）から4（最大障害）までの回答が設定されており、症状が悪化するほど高値となる。

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

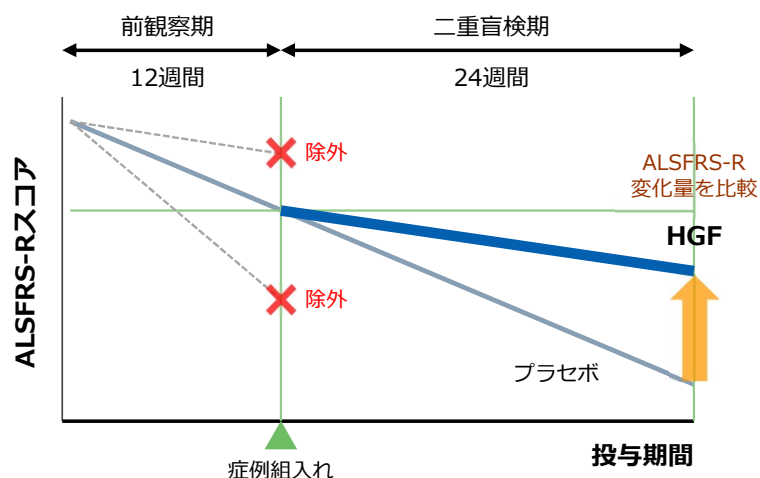
ALS 第Ⅱ相試験（医師主導治験）

追加解析
計画中



- 試験デザイン： プラセボ対照二重盲検並行群間比較試験
- 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（東北大学と協議中）

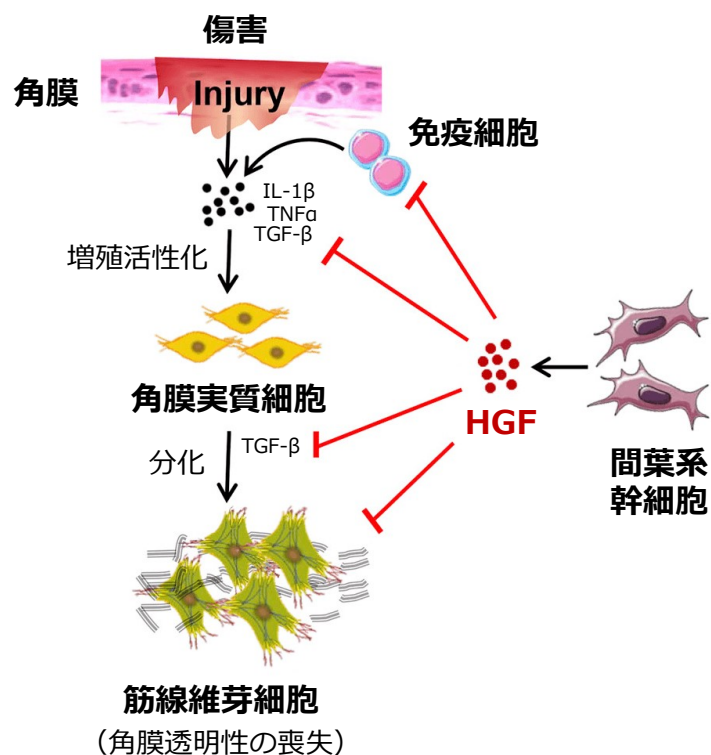
*1 ALS患者の日常生活活動を見るもので、12項目の動作について各々0～4の5段階で点数化する。

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

2023年9月期第1四半期決算概況

2023年9月期第1四半期 経営成績の概況

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2022年9月期 第1四半期	2023年9月期 第1四半期	2023年9月期第1四半期 内容	2023年9月期 通期業績予想
売上	13	17	● クラリス社からの技術アクセスフィー	68*
売上原価	—	—		—
販売管理費	133	174		1,062
研究開発費	82	119	● 脊髄損傷の治験費用 ● 声帯癒痕の治験準備費用 ● 製造開発に係る各種試験費用	833
営業損失	△120	△157		△993
営業外費用	8	0		40
経常損失	△128	△157		△953
法人税等	0	0		1
四半期純損失	△129	△157		△955

* 新規提携に伴う契約一時金が発生する可能性があります。現時点では不確実であるため売上予想には含めておりません。

2023年9月期第1四半期 財政状態の概況

貸借対照表の概要 前期末対比

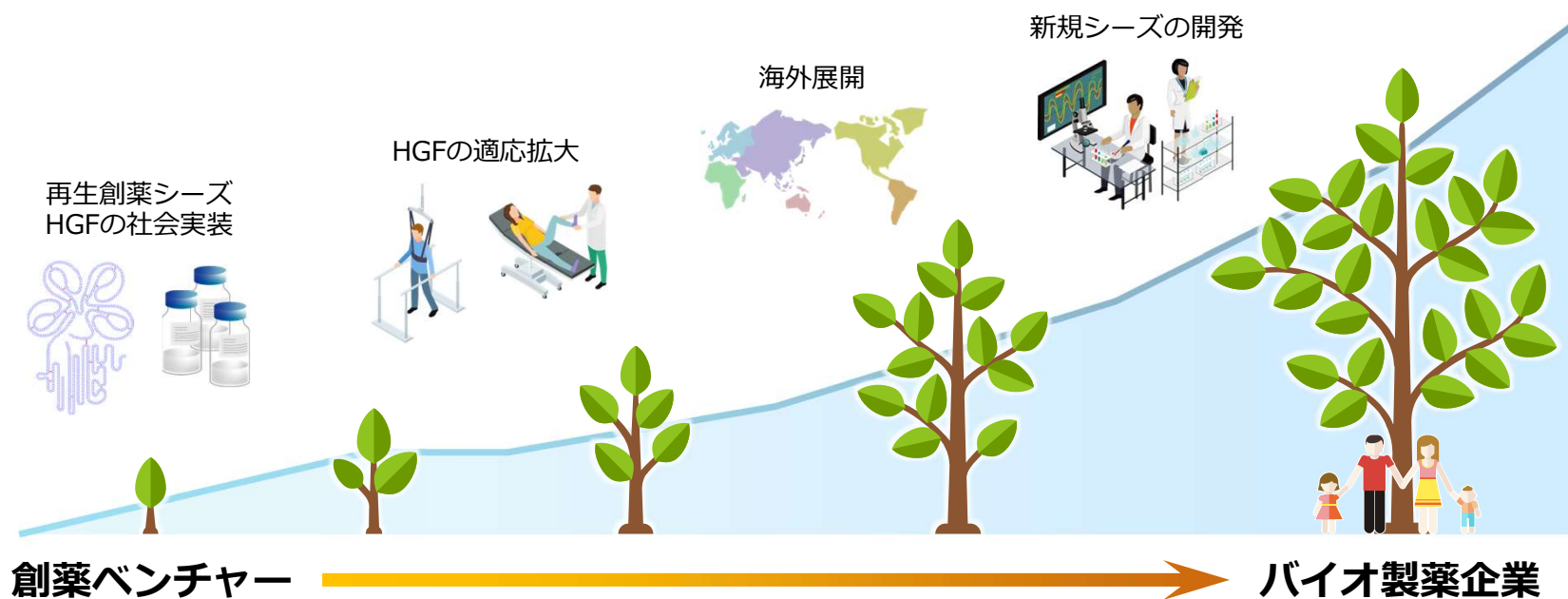
(単位：百万円)

	2022年9月期 期末	2023年9月期 第1四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	3,207	3,047	△160	● 現預金の減少
現預金	2,756	2,591	△164	● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	1	—	
資産合計	3,208	3,048	△160	
流動負債	162	158	△4	
固定負債	256	256	—	
負債合計	419	415	△4	
純資産合計	2,789	2,632	△156	● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	3,208	3,048	△160	
自己資本比率	86.9%	86.2%		

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



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）

2022年12月時点



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
Neuroplast	第Ⅱ/Ⅲ相	デンマーク スペイン	Neuro-Cells	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：脊髄腔内投与 ※欧州でオーファン指定
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
StemCyte	第Ⅱ相	US, 台湾	MC001	ヒト臍帯血由来単核細胞	対象疾患：脊髄完全損傷慢性期 投与方法：損傷脊髄への移植 ※中国P2で効果と安全性確認済み

声帯癬痕の主な競合品（第Ⅰ相以上）

2022年12月時点



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
当社	第Ⅲ相	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質	対象疾患：声帯癬痕（声帯溝症を含む） 投与方法：声帯内局所投与
マルセイユ国立大学 病院	第Ⅱ相	フランス	Autologous adipose- derived stromal vascular fraction	自己脂肪由来間質 血管細胞群	対象疾患：声帯癬痕 投与方法：局所投与
カロリンスカ医科大学	第Ⅰ/Ⅱ相	スウェーデン	MSC-KI-PL-204	自己骨髄間葉系 幹細胞	対象疾患：声帯癬痕 投与方法：局所投与
Mayo Clinic	第Ⅰ相	US	Autologous adipose- derived stromal vascular fraction	自己脂肪由来間質 血管細胞群	対象疾患：声帯癬痕 投与方法：局所投与

- 第Ⅲ相のステージにあるのは当社のみ
- 企業主導による治験は当社のみ
- 細胞治療ではないモダリティは当社のみ

ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

2022年12月時点



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/カナダ/JP承認、スイス承認申請
Amylyx Pharmaceuticals	承認 承認 申請	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	US 欧州	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、審査終了は2023年4月予定
AB Science	申請 第Ⅲ相	欧州, カナダ US	AB19001 (masitinib)	経口キナーゼ阻害剤	対象疾患：ALS、投与方法：経口投与 ※US/欧州でオーファン指定
エーザイ/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
Brainstorm-Cell Therapeutics	第Ⅲ相 (終了)	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
Ferrer	第Ⅲ相	欧州	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
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 ※USでオーファン及びファストラック指定
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