



2023年5月25日

各位

会社名 クリングルファーマ株式会社
住所 大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号
彩都バイオインキュベータ207
代表者名 代表取締役社長 安達 喜一
(コード番号: 4884 東証グロース)
問い合わせ先 取締役経営管理部長 村上 浩一
TEL. 072-641-8739

2023年9月期 第2四半期 決算説明会 質疑応答について

2023年5月22日(月)にオンラインにて開催いたしました2023年9月期 第2四半期決算説明会での質疑応答の要旨は以下のとおりです。

なお、決算説明会事前に頂きましたご質問及び当日頂きましたご質問を併せて以下に回答を記載いたしております。

※本資料の記載内容は決算説明会での質疑応答をそのまま書き起こしたのではなく、ご理解いただきやすいように一部加筆修正をしております。あらかじめご了承ください。

※2023年9月期第2四半期決算説明会の動画は、こちらのURLからご覧ください。<https://youtu.be/KNwpihnjWEs>

【質疑応答】

(事前にいただいたご質問)

ご質問1

直近の資料ですと脊髄損傷急性期の国内第Ⅲ相試験終了後、提携パートナーが欧米での開発を実施する計画となっていますが、欧米への導出に関する活動の状況に関して教えて頂きたい。また、欧米での開発を既に開始しているのか、国内第Ⅲ相試験の結果確認後に行う予定なのかという点と導出の見込みや現在までの感触等についても教えてください。

回答1

複数の海外製薬企業と秘密保持契約下で交渉を進めております。交渉相手との守秘義務がありますので、個別の交渉状況について開示することは出来かねますことをご理解いただきたいと思います。米国、ヨーロッパ、アジアすべてを想定して各社ごとに交渉を進めておりますが、今のところ世界最大のマーケットである米国が最も有力な対象エリアになりうると考えております。国内第Ⅲ相試験の結果を待たずに、ライセンスアウト、共同開発、単独開発の可能性について、事業開発活動並びに調査活動を進めております。国内第Ⅲ相試験の組入れが完了し終了時期が見えてまいりましたので、今後各社との交渉を更に加速したいと考えております。もちろん、提携に関する契約を締結した際には速やかに開示させていただきます。

ご質問2

脊髄損傷急性期を対象とした第Ⅲ相試験の組入れが4月に完了したとの事ですが、今後、最終患者の方も6ヶ月の経過観察を行うと思います。その途中経過もしくは、これまでの組入れ患者の経過も含む進捗状況を臨床試験完了前に開示することを検討されていますか？

回答2

当社の治験は、治験期間を完了した全ての患者データを固定した後、あらかじめ定めた統計解析手法を用いて解析するよう設定しております。つきましては、すべての組入れ患者の経過観察が完了した時点では、速やかに完了のご報告をさせていただきますが、治験結果につきましては、データ固定後の解析が完了するまでは途中経過等のご報告は想定しておりません。

ご質問3

声帯癱痕について、オーファンドラッグ指定の申請予定はどのようになっていますでしょうか？

回答3

オーファンドラッグ指定の申請については、申請前に厚生労働省と指定相談を行うこととなります。これまで治験開始に向けた各治験施設との事務手続きに時間がかかりましたが、それらの対応もひと段落つきましたので、本年夏までには指定相談を申し込みたいと考えております。

ご質問4

大量保有報告書等によると大株主であった慶應大学が貴社株式の売却を行っているようだが、なぜでしょうか？

回答4

今回株式を売却されましたのは、慶應大学本体ではなく、株式会社慶應イノベーション・イニシアティブという慶應大学が設立したベンチャーキャピタルです。当社には、上場以前の2016年から投資を頂いております。一般的に、ベンチャーキャピタルは出資しているファンドの期限がありますので、期限内に株式を売却してキャピタルゲインを得ることが通常です。投資頂く際は、詳細な事業説明を行った上で投資のご判断を頂きましたが、当社上場後は、当然ながら開示情報以外のやり取りはございませんので、今回どのような理由で当社株を売却されたのかは、当社では分かりかねますことをご理解いただければと思います。

ご質問5

仮に、米国のクラリス社の開発がうまくいったとすれば、第Ⅲ相試験、更に製品化に向けて進んだ場合、HGF原薬供給は、引き続き日本からの輸出で対応する予定なのでしょうか？

回答5

クラリス社の開発がうまくいき製品化ということになれば、かなりの量のHGF原薬が必要となる事が予想されます。つきましては、日本だけではなく米国現地での製造につきましても、クラリス社と協同しながら色々な可能性の検討を進めております。

(当日いただき、回答させていただいたご質問)

ご質問1

脊髄損傷急性期の第Ⅲ相試験に関する報告書の発表スケジュールと、承認申請のタイミングについての想定を教えてください。また、Biogen社のTofersenがSOD1変異型ALSで米国FDAから承認を取得しましたが、同じくALS治療薬として開発中の御社の本承認に対する捉え方についてコメントをいただけませんか？

回答1

脊髄損傷急性期の第Ⅲ相試験につきましては、最終症例の経過観察は、今年の10月に終了する予定となっております。

その後、すべての患者データを固定した上で、データ解析を行い、総括報告書を取りまとめてまいります。試験結果の公表はそのタイミングになると想定しています。

また、承認申請のタイミングにつきましては、本治験の総括報告書の他に過去の治験データを含むすべてのデータを基に、PMDA と申請前相談を行うことで判明してまいります。したがって、現時点で具体的な日程を確定することは出来ないと考えていますが、順調にいけば2024年には承認申請が可能になるものと考えております。

次に、Biogen 社の Tofersen についてですが、こちらはバイオマーカーのデータで FDA の迅速承認 (accelerated approval) が得られた事案です。Tofersen の第Ⅲ相試験では、主要評価項目で統計的有意差は示されなかったのですが、バイオマーカーのデータに基づいて迅速承認となりました。当社の ALS の第Ⅱ相試験についても、バイオマーカー等を使用した追加解析を行うことによって、次の臨床試験設計の手がかりをつかめないかと東北大学の先生方と協議をしているところです。

ご質問 2

脊髄損傷急性期の治験は非常に時間がかかりましたが、上市した場合、年間どのくらいの患者に実際に投与される可能性があると考えているのでしょうか？

回答 2

脊髄損傷は日本で毎年約 5,000 人の方が受傷すると言われております。この 5,000 人というのは脊髄損傷が重度の患者さんから軽度な方まですべて含まれている人数となります。現在当社が行っている第Ⅲ相試験は、その中でも最も重度な患者さん (AIS 分類 A) を対象としています。AIS 分類 A の患者数は、年間 1,000 人程度と推定されます。当社の治験では HGF の薬効を検出するために、自然回復が極めて難しいといわれる AIS 分類 A の患者さんを対象とした治験を行っていますが、HGF が AIS 分類 A の患者さんにしか効かないとは考えておりません。市販後に適応となる患者さんの重症度については PDMA との相談で決まりますが、できるだけ幅広い患者さんに使っていただけるように相談する予定です。

ご質問 3

現時点ではまだ現預金の余裕はあるようですが資金調達の検討はしているのでしょうか？

回答 3

ご理解の通り、現在進めている各パイプラインの治験資金ならびに数年間の運転資金は今のところ確保できております。一方で、今後の成長戦略を実行するためには、資金需要が発生する可能性があります。もし、何らかの資金需要が発生するとすれば、新規パイプラインの導入もしくは海外での臨床開発に対しての資金需要になるのではないかと思います。

ご質問 4

ALS の追加解析、急性腎障害のパートナー探索の状況は具体的にどのくらい進捗しているのでしょうか？追加解析では、時間がかかっているように思えますが、行うかどうかの協議に時間がかかっているのでしょうか？それとも追加解析の準備に時間がかかっているのでしょうか？パートナーの探索では何社くらいと話を進めているのでしょうか？

回答 4

ALS の追加解析に少し時間がかかっていますが、ALS 第Ⅱ相試験は、医師主導治験で行われておりますので、その追加解析も東北大学の先生方により医師主導で行われることとなります。バイオマーカー等の評価の規模感やコスト感などについてまだ未調整の事項が残っておりますため、もう少し時間がかかることが予想されます。

急性腎障害につきましては、複数の企業と様々な協議を継続してはおりますが、先般欧州のバイオベンチャーが、急性腎障害に対する大規模な第Ⅲ相試験を途中で断念するなど、非常に難しい側面を有しております。具体的に何社と協議させて頂いているのかにつきましては、非開示とさせていただきます。

(当日いただいたご質問のうち回答出来なかったご質問)

ご質問 1

クラリス社が開発中のパイプラインが上市した場合、技術料収入と原薬供給による収入が期待できるという理解は正しいのでしょうか？それ以外のロイヤリティなどはあるのでしょうか？

回答 1

現在クラリス社とは「開発段階」における契約のみを締結しております。現在の「開発段階」におきましては、技術アクセスフィーと原薬供給による収入が期待できるという状況です。

一方、上市後の「商業段階」については、今後クラリス社との協議により決めて行きたいと考えております。

ご質問 2

HGF の製造に関して、株式会社ニューロゲンのマスターセルバンクを使用していたかと思いますが、ニューロゲンに支払うロイヤリティ的な物はあるのでしょうか？またそれはどのくらいなのでしょう？気にしないでよいレベルなのか教えて欲しいです。

回答 2

上場時の目論見書にも記載の通り、同社との契約に基づいて一定の使用料は発生しておりますが、具体的な金額等につきましては、非開示とさせていただきます。

ご質問 3

HGF と iPS 細胞との併用試験はどのような形で行うのでしょうか？慶應大学がどこかの企業に導出するのでしょうか？

回答 3

当社と慶應義塾大学とは共同研究の段階にあり、今後どのような体制で臨床開発及び実用化を目指すか等については引き続き協議をしております。

ご質問 4

「脊損急性期での第Ⅲ相試験の経過報告は全くしないということではなく何らかの形で経過報告したい」と前回の説明会で言われていましたが、具体的には何を考えているのでしょうか？

回答 4

前回の説明会での発言は、患者さんの組入れの進捗状況を逐一報告はしませんが、一定の区切りの段階においては、組入れの進捗状況を開示させていただくつもりですという趣旨での表現でした。

ご質問 5

脊髄損傷急性期の海外での開発計画の図について、欧米の方がアジアより先に開発パートナーによる開発開始となっておりますが、承認予定時期はアジアの方が先になっている理由は何でしょうか？治験なしで承認できる国がある

のでしょうか？

回答5

アジアには、日本で承認された医薬品について、現地での治験なしで承認が得られる国があります。そのような国における承認を想定してそのような記載としております。

ご質問6

資金調達についての質問で、昨年11月の通期決算説明会の質疑応答では「現在のところ、具体的な増資の計画はございません」とのことだったが、今回の説明会の質疑応答では、成長戦略や海外での臨床開発等の資金需要次第というような増資の可能性を匂わせる回答がありました。昨年11月の通期決算説明会から今回の説明会の間には何か変化があったのでしょうか？

回答6

特に大きな変化があったわけではありません。国内外を問わず様々な企業や大学との共同研究等は着実に進展いたしておりますので、海外での治験や新規の開発案件についての可能性について言及させていただきました。

ご質問7

資金調達の質問に関してパイプラインの開発計画の図では海外の治験を自社でやる計画は無いはずですが、資金調達の説明であった海外での単独開発とはどういう意味だったのでしょうか？

回答7

海外の治験については、基本的に提携パートナーによる実施もしくは共同開発を念頭に記載しております。ただし、国内の第Ⅲ相試験の終了も見えてきている中で、当社の成長戦略に資する海外展開を具体的かつ迅速に検討していく中では、自社で海外の治験を行う可能性も排除せずに検討する必要があると考えております。

以上