



2023年11月21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 通期 決算説明会 質疑応答について

2023年11月20日(月)にオンラインにて開催いたしました2023年9月期 通期決算説明会での質疑応答の要旨は以下のとおりです。

※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月期通期 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/piTj8P2oPEU>

### 【質疑応答】

#### ご質問1

今期の見通しの中で、脊髄損傷急性期の国内での製造販売承認申請を予定しているようですが、いつごろを想定しているのでしょうか？

#### 回答1

製造販売承認申請につきましては、PMDA との申請前相談結果にもよりますので、現時点では申請時期を確定的に申し上げることは難しいのですが、2024年9月期の後半には申請できるのではないかと考えており、それに向けて準備を進めております。

#### ご質問2

脊髄損傷急性期の第Ⅲ相試験の結果はいつごろ開示されるのでしょうか？

#### 回答2

現在、データ固定作業を進めており、終わり次第有効性及び安全性データの解析・評価を行う予定です。今のところ、2024年9月期の第2四半期中(1~3月)に速報データをお示しできるのではないかと考えております。

#### ご質問3

今回の資金調達の使用にもなっていますが、クラリス社との提携の中で米国での HGF 原薬の製造開発を行っていくという話は、具体的にはどこまで進んでいるのでしょうか？

#### 回答3

2023年9月22日付けで開示いたしましたとおり、クラリス社と新たな契約を締結し協業を開始したところです。すでに米国の CMO において HGF 高発現株の作製や、培養工程及び精製工程の効率化に着手しておりますが、今のところまだ製造手法等を色々と検討している段階となっております。具体的な進展があれば開示させていただきます。

#### ご質問 4

声帯癱痕のオーファン指定に関して、特に開示がありませんが、申請自体はされているのでしょうか？

#### 回答 4

オーファン指定の申請に関しまして、厚労省と何度か指定相談を重ねておりますが、今のところまだ指定要件について、正式な回答が得られていない状況です。こちらも進展があり次第、開示をさせていただきますので、あとしばらくお待ちいただければと思います。

#### ご質問 5

ALS 第Ⅱ相試験の追加解析を行うと言う話でしたが、今はどこまで進んでいるのでしょうか？追加解析の結果はいつ公表されるのでしょうか？

#### 回答 5

第Ⅱ相試験は医師主導治験であり、治験で得られた検体を用いた追加解析も東北大学が主導して臨床研究として実施することになります。臨床研究の実施については、すでに東北大学大学院医学系研究科の倫理委員会において承認が得られております。現在、バイオマーカーを中心として、解析すべき項目について東北大学と議論を進めつつ、解析委託業者に対して見積もりや納期について確認を進めているところです。今期中には追加解析の状況や結果をお示しできるのではと考えております。

#### ご質問 6

現在進めている米国での治験開発準備は脊髄損傷急性期が対象でしょうか？それとも亜急性期を対象としているのでしょうか？

#### 回答 6

米国での治験につきましては、まずは「脊髄損傷急性期の患者様」を対象とした計画を想定して準備を進めております。

#### ご質問 7

脊髄損傷急性期の米国での治験開発に向けて FDA との事前協議を行う準備を進めているとのことでしたが、その進展については何かありましたでしょうか？

#### 回答 7

先日、FDA より Pre-IND ミーティングに対する回答が届きました。この回答により、当社が計画している脊髄損傷急性期を対象とする米国での臨床試験デザインに対しての FDA の考え方を確認することができました。加えて、当社が日本で蓄積した臨床データを米国での開発プロセスでどのように活かせるのか、さらには、BLA（生物製剤承認申請）までの開発方針についても示唆を得ることができたと考えております。現在、米国に精通した提携パートナーと共同で医薬開発を進める方針であり、すでに複数の製薬・バイオ企業と交渉を行なっておりますが、今回受領した FDA の回答を踏まえて、提携パートナーの選定に向けた交渉を更に加速して行きたいと考えています。

また、米国の FDA との Pre-IND ミーティングの内容を確認する限り、日本の PMDA と FDA では、脊髄損傷急性期の治験デザインに対する考え方に「違い」があることが判明しましたので、日本の脊髄損傷急性期の治験結果が、そのまま米国の臨床開発に直結することはないのではないかと考えております。

#### ご質問 8

慶應義塾大学と脊髄損傷に関して複数の論文執筆や特許共同出願等が行われていますが、今後の事業化の目途を教えてください。

#### 回答 8

慶應義塾大学とは2021年2月から脊髄損傷に関する共同研究を行っております。当社のHGFタンパク質と慶應大のiPS細胞由来神経幹／前駆細胞を併用することにより、脊損急性期だけでなく、亜急性期や慢性期に対する新規治療法の開発を目指しています。特許出願は動物モデルでのデータによるものですので、ヒトでの臨床試験に進むにはまだ年月がかかりますが、引き続き共同研究を推進し、1日でも早く治験に着手できる様に取り組んでまいります。慢性期まで適応拡大ができれば、対象となる患者数比で考えますと、そのマーケット規模は急性期の20倍以上になると考えられます。

#### ご質問 9

声帯癒痕の治験の進捗ですが、施設の追加以降特に新しい情報の開示がされていませんが、現在の進捗状況は順調なのでしょうか？

#### 回答 9

治験施設との契約手続等に想定より時間がかかり当初の計画より、症例組入れの開始が少し遅れました。引き続き、各治験施設でのリクルーティング活動の強化に加え、新たな治験施設の追加等も検討を進めることで、目標どおり2024年後半に組入れを完了し、2025年後半の経過観察終了を目指して参ります。

#### ご質問 10

クラリス社が米国で実施しているP1/2はいつ終了する予定でしょうか？

#### 回答 10

クラリス社は神経栄養性角膜炎を対象に米国とカナダでP1/2を実施しています。クラリス社との守秘義務がございますので詳細は開示できませんが、同社のウェブサイトには2024年2月に終了予定と書かれております。

以 上