



# 2024年9月期 通期決算説明会

2024年11月19日

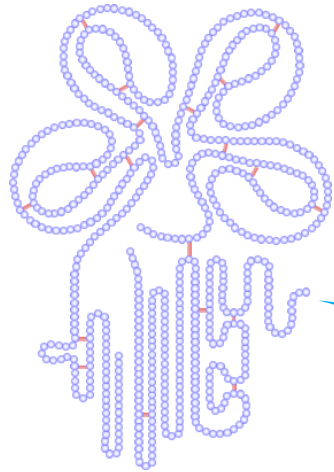
**クリングルファーマ株式会社**  
(東証グロース：4884)

- 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。
- 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。

- **2024年9月期のトピックス**
- **開発パイプラインの進捗状況**
  - 脊髄損傷急性期
  - 声帯癒痕
  - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **成長戦略**
- **2024年9月期 通期決算概況**  
**2025年9月期 業績予想**
- **質疑応答**

## 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



- 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、19個の分子内架橋
- 複雑な構造 (クリングル構造と言う：社名の由来)
- マルチな生物学的機能
- 組織・臓器の「保護」、「再生」、「修復」を担う

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	11百万円 (2024年9月末時点)
役員数	取締役7名、監査役3名
従業員数	15名 (2024年9月末時点)

# 2024年9月期のトピックス（後発事象を含む）

## レイトステージの 開発パイプライン の進捗

- **脊髄損傷急性期** スライド No.9～15
  - 第Ⅲ相試験終了、承認申請に向けてPMDAと協議開始 (2024年4月～)
  - 第一種医薬品製造販売業許可申請 **New** (2024年11月)

- **声帯癒痕** スライド No.16～19
  - 第Ⅲ相試験の治験施設を追加（計6施設で組入れ継続） (2024年5月)
  - 2025年6月までに組入れ終了予定 **New**

- **ALS** スライド No.20～21
  - 第Ⅱ相試験の追加解析（バイオマーカー測定）開始 (2024年4月)

## 海外展開に向けて

- **米国FDAとの治験前相談** スライド No.24
  - Pre-IND及びType C meeting終了 **New** (2024年11月, 9月)

- **パートナーリング活動** スライド No.26～27
  - BIO 2024及び2nd SCI Investor Symposiumに参加 (2024年6月)

## 適応拡大に向けて

- **特発性大腿骨頭壊死症への応用研究** スライド No.28
  - 岐阜大学との共同研究開始 (2024年4月)

- **特発性肺線維症への応用研究** スライド No.29～30
  - 金沢大学との共同研究開始 (2024年6月)

---

# 開発パイプラインの進捗状況

---

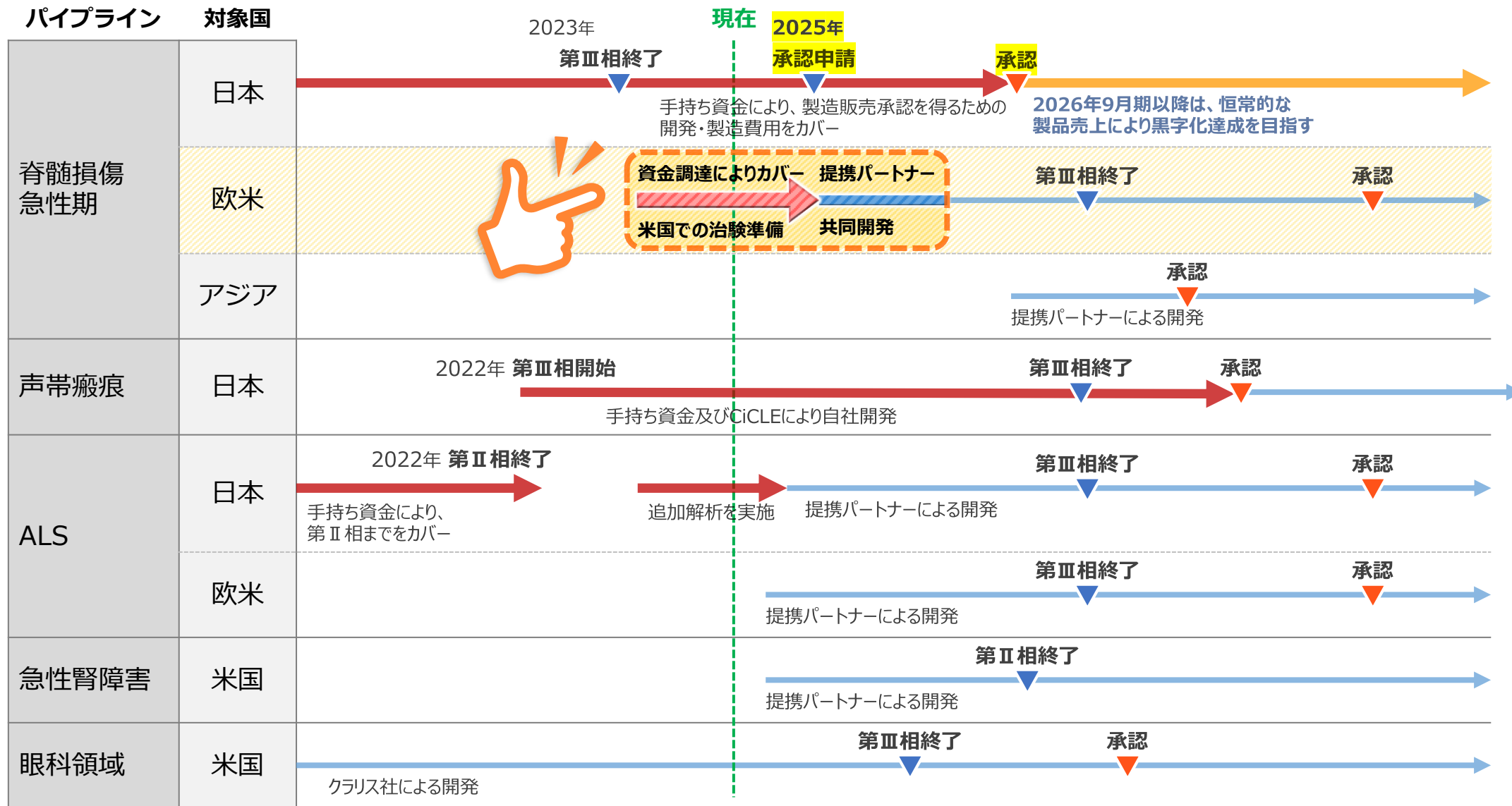
# 開発パイプラインの概要

- 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**

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		
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(単群非盲検試験)終了	終了		終了	PMDAと協議中	
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)実施中	終了		実施中	症例組入れ進行中	
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、追加解析実施中	終了	終了		追加解析実施中	
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			

\* FPI : First Patient In (最初の症例登録)

# 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。



# 開発パイプライン

## － 脊髄損傷急性期 －

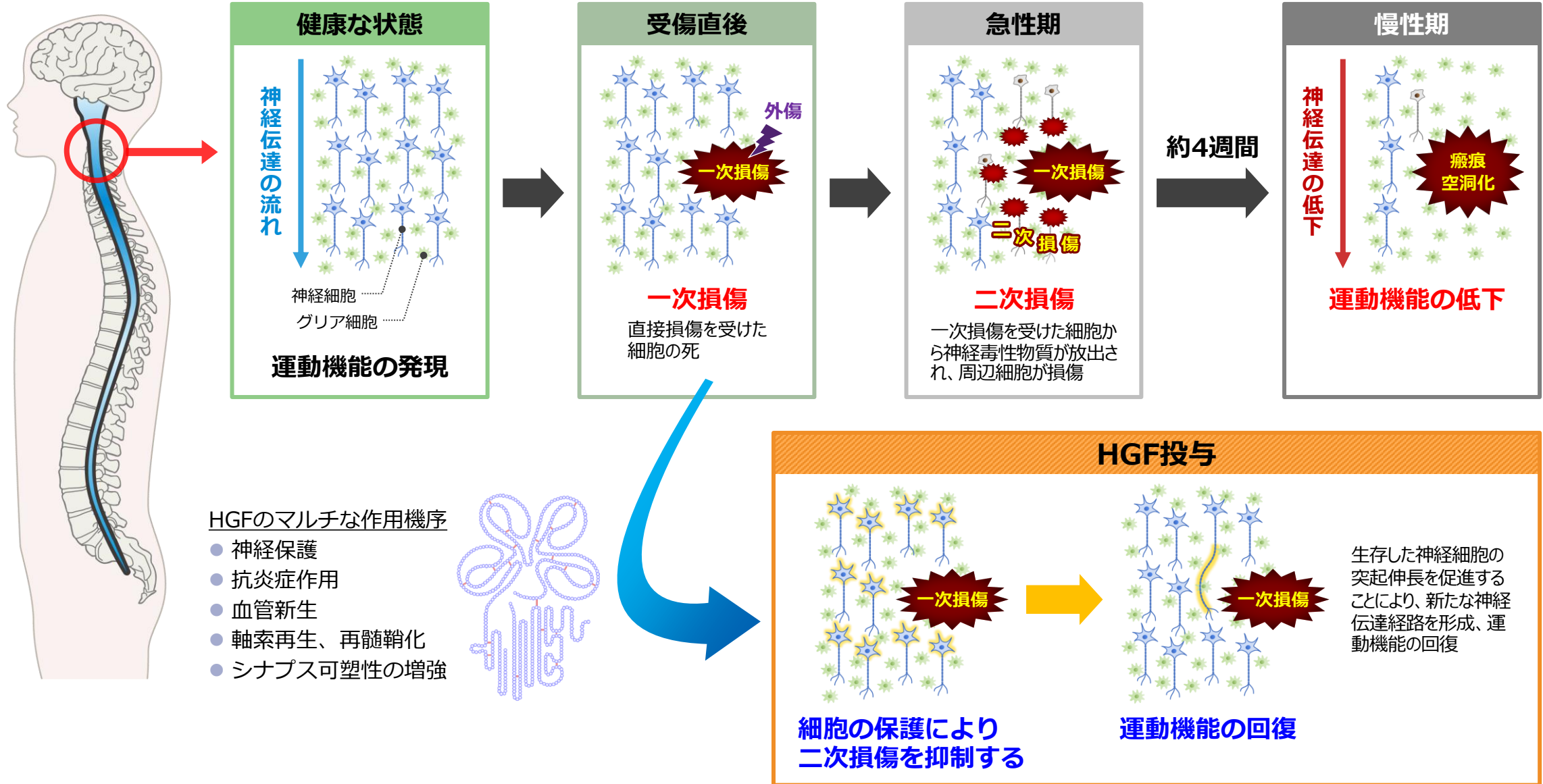
### 疾患の特徴

- 転倒・事故などで脊髄が損傷
  - － 新規罹患者\*：6,000人/年(日本)、6.6万人/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：Miyakoshi et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Traumatic Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2023)、及び総務省統計局「世界の統計2023, 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



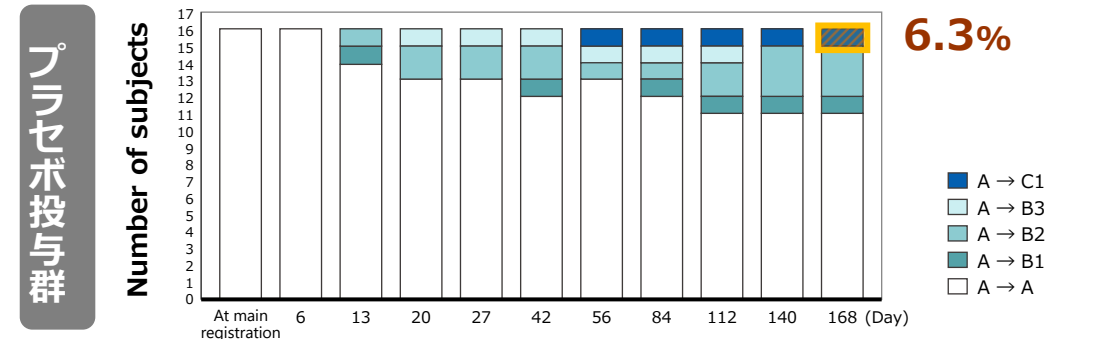
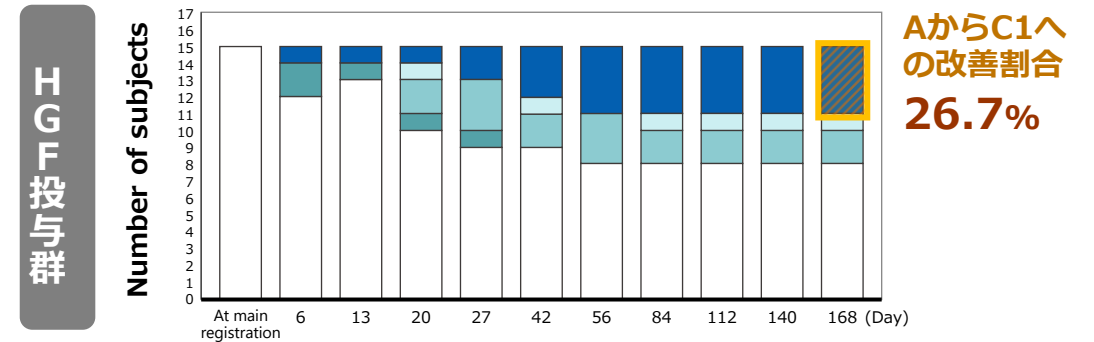
## プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

HGF投与群：28症例 / プラセボ投与群：17症例

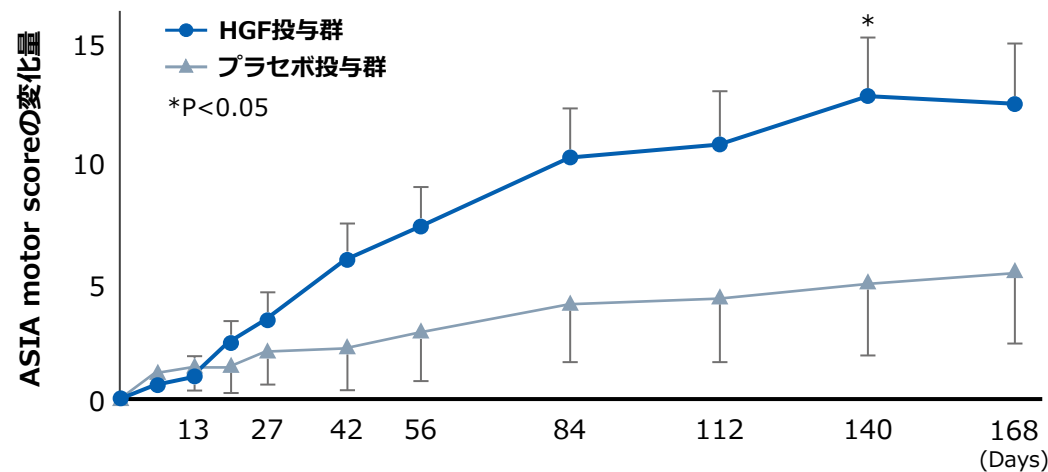
**安全性について**      **大きな問題はなかった**

**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



Nagoshi et al, J Neurotrauma. 2020.

**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\*\*)**

\* 希少疾病用医薬品指定番号：(31薬)第442号

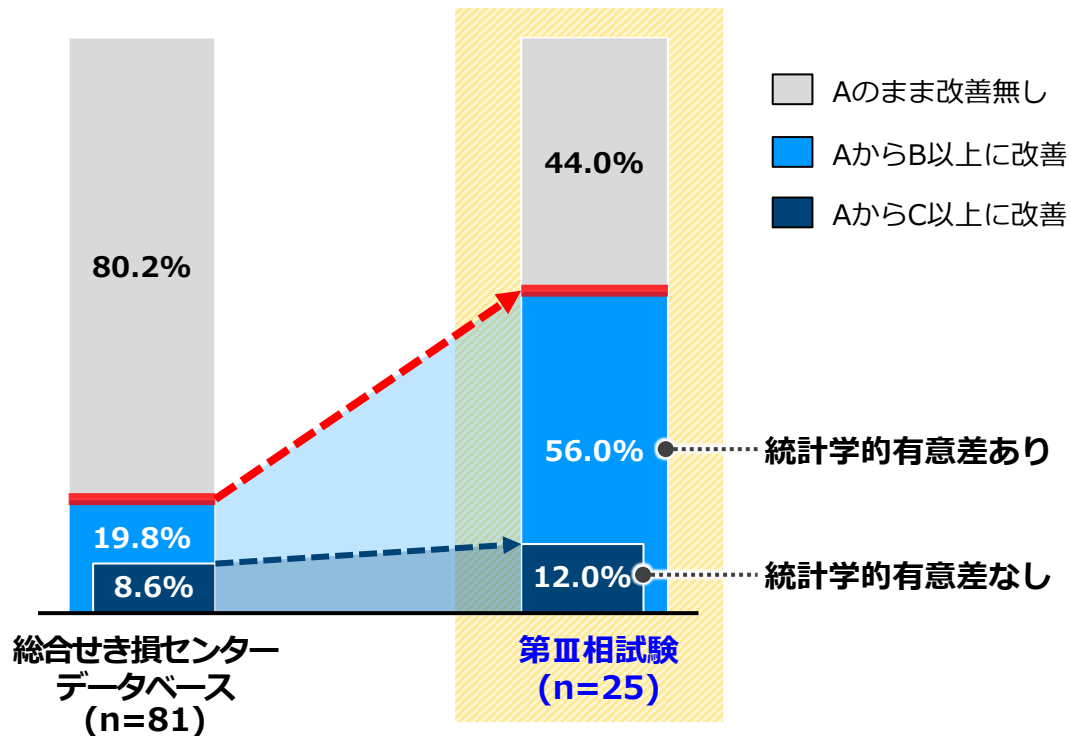
\*\* 出典：日本の希少疾病用医薬品の指定要件の現状に関する研究 医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No. 70 (2017)

# 脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

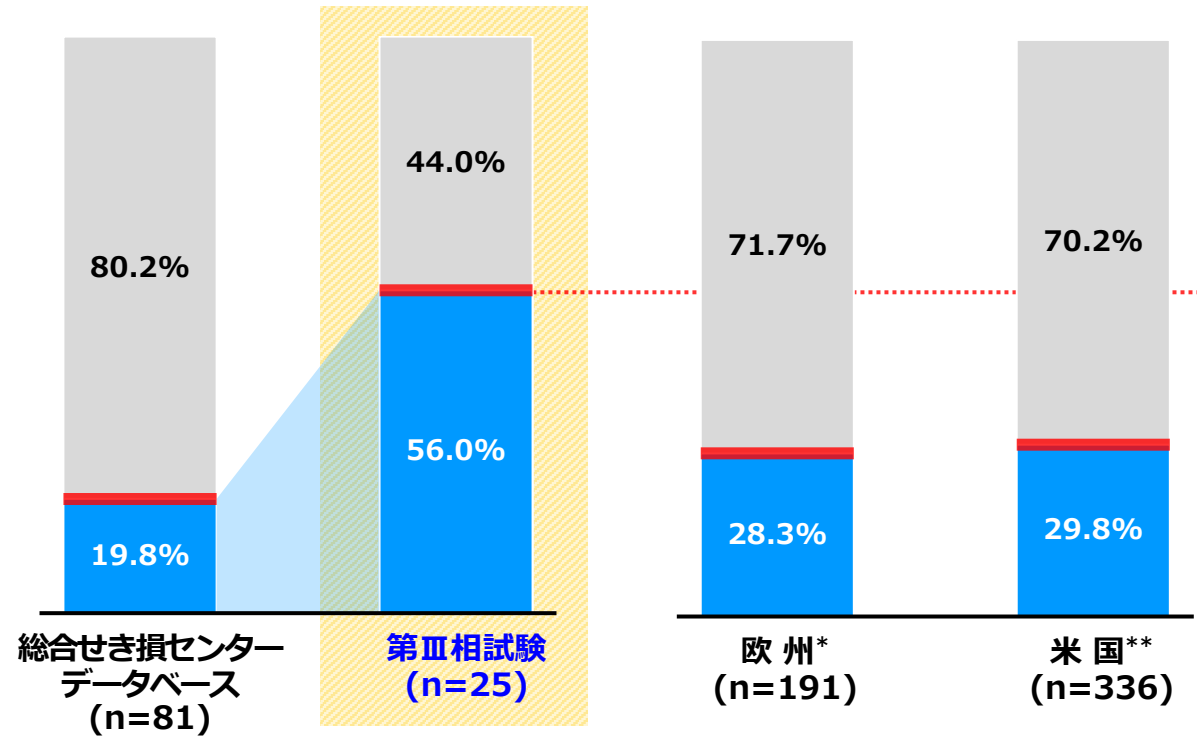


- 試験デザイン： 多施設共同非ランダム化試験 (HGF投与群のみ)
- 登録症例数： 26症例 (うち有効性の評価対象は25例)
- 対象患者： 頸髄損傷 (AIS分類：A)、年齢：18～89歳
- 用法： 脊髄腔内投与 (受傷後72時間より週1回×5回)、観察期間6ヵ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6ヵ月のAISがC以上に改善した症例割合

## 6ヵ月時点のAIS分類(重症度)の改善



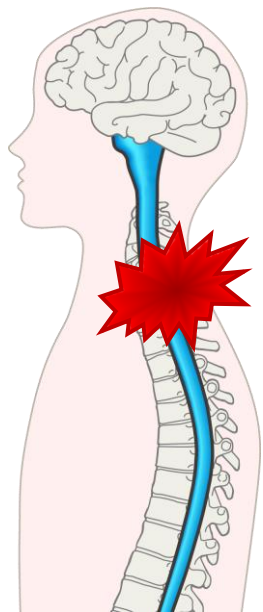
## 重症度B以上への改善割合 - 海外データベースとの比較 -



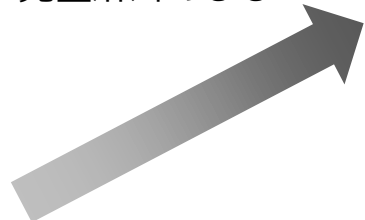
\* Spiess et al, J Neurotrauma. 2009. European Multicenter Study on Human Spinal Cord Injury (EM-SCI database) 2003-2007, baseline within 15 days, discharge after 6 months.

\*\* Marino et al, Arch Phys Med Rehabil. 2011. National Spinal Cord Injury Database (NSCISC database) 1994-2009, baseline within 7 days, discharge after 1 year.

## 急性期 完全麻痺

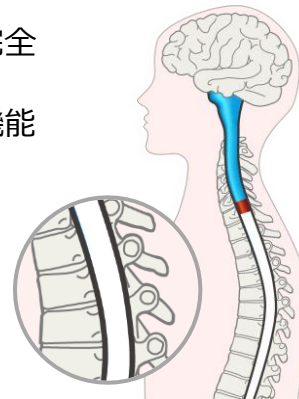


HGF投与がなければ  
約70%の患者は  
完全麻痺のまま



## 完全麻痺 AIS A

- 感覚・運動共に完全麻痺
- 脊髄が脱落し、機能回復が困難

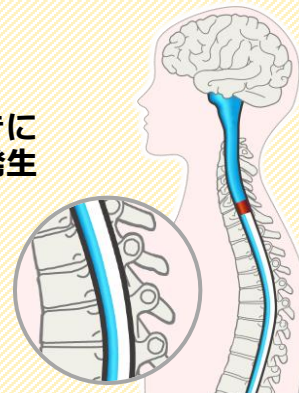


完全四肢麻痺の死亡リスクは、  
不全四肢麻痺の死亡リスクの  
**5倍以上** (退院後1年未満)

(Chamberlain et al. Spinal Cord. 2018. 56:920-930)

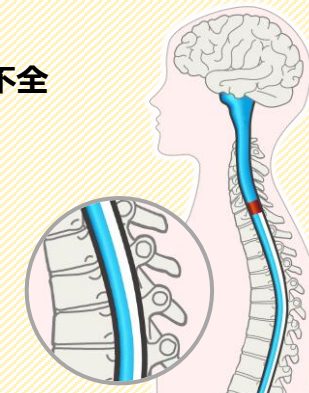
## 不全麻痺 (運動喪失) AIS B

- 脊髄が残存し、感覚が不全
- 病態変化の気づきにより、褥瘡等の発生率が低下する



## 不全麻痺 (運動不全) AIS C

- 脊髄が残存し、感覚・運動共に不全
- 歩行への期待



HGF投与により  
半数以上がB以上に  
改善



脊髄が残存すれば、リハビリテーションや細胞治療でより高い治療効果を期待できる

## ● 第Ⅲ相試験

事後解析  
総括報告書の作成

終了   
ほぼ終了

## ● PMDAとの協議

事前面談




申請前相談



製造販売承認申請

終了 

申請前相談 (オフアン) に進む  
こと合意、日程調整済み 

2025年3月予定 **New**

## ● 製造販売承認申請パッケージの作成

実施中

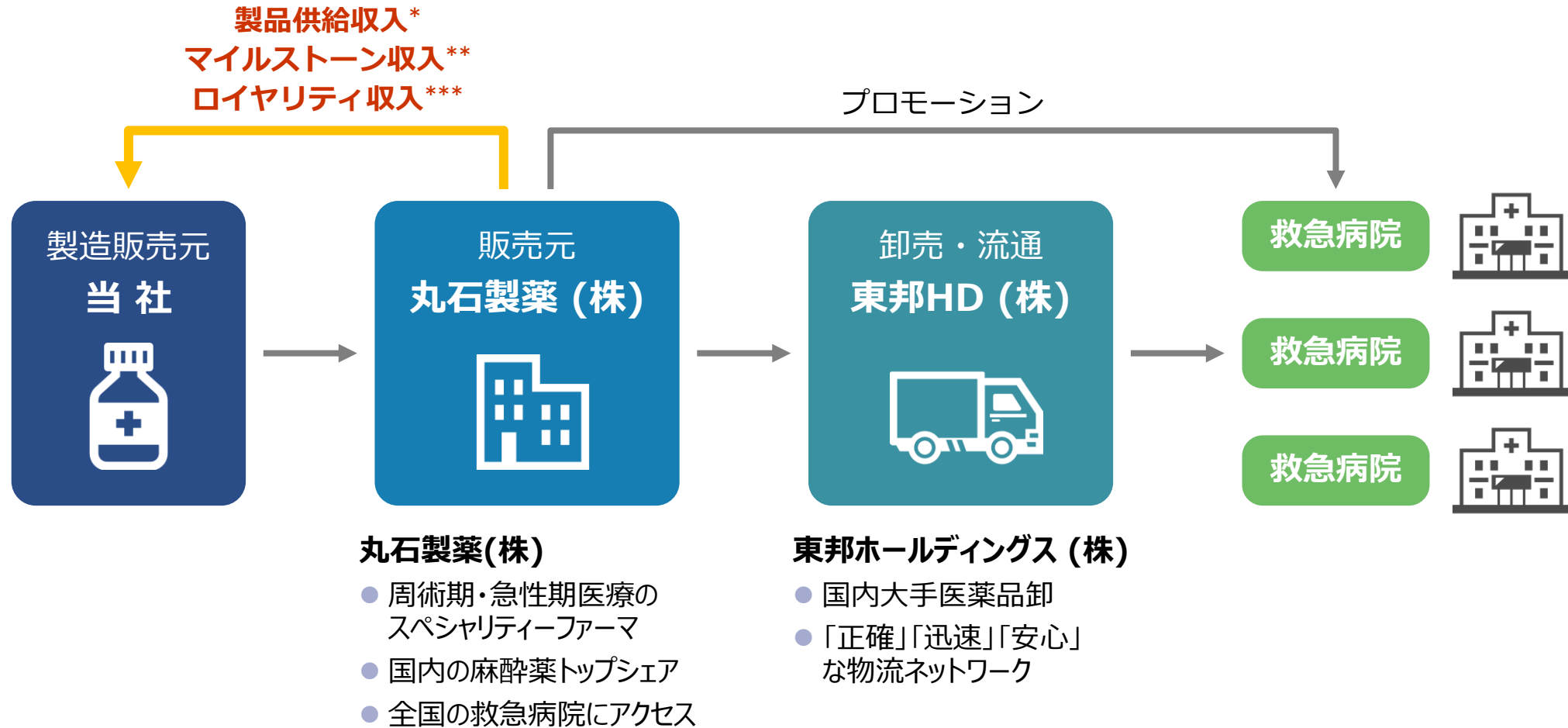
## ● 製造販売業許可取得

社内体制の整備  
製造販売業許可申請  
製造販売業許可取得

終了   
終了 

2025年2月予定 **New**

# 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

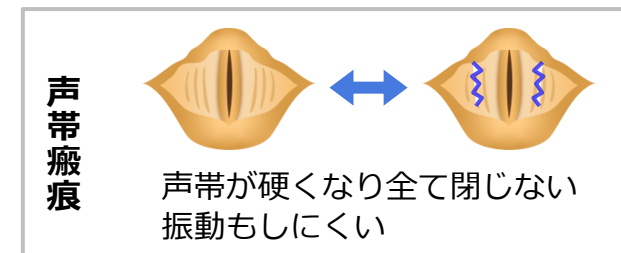
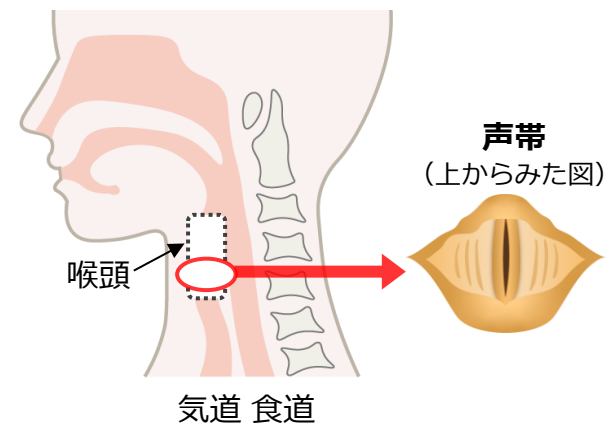
## － 声帯癒痕 －

### 声帯

- 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 (先進国)
- 有効な治療法はない

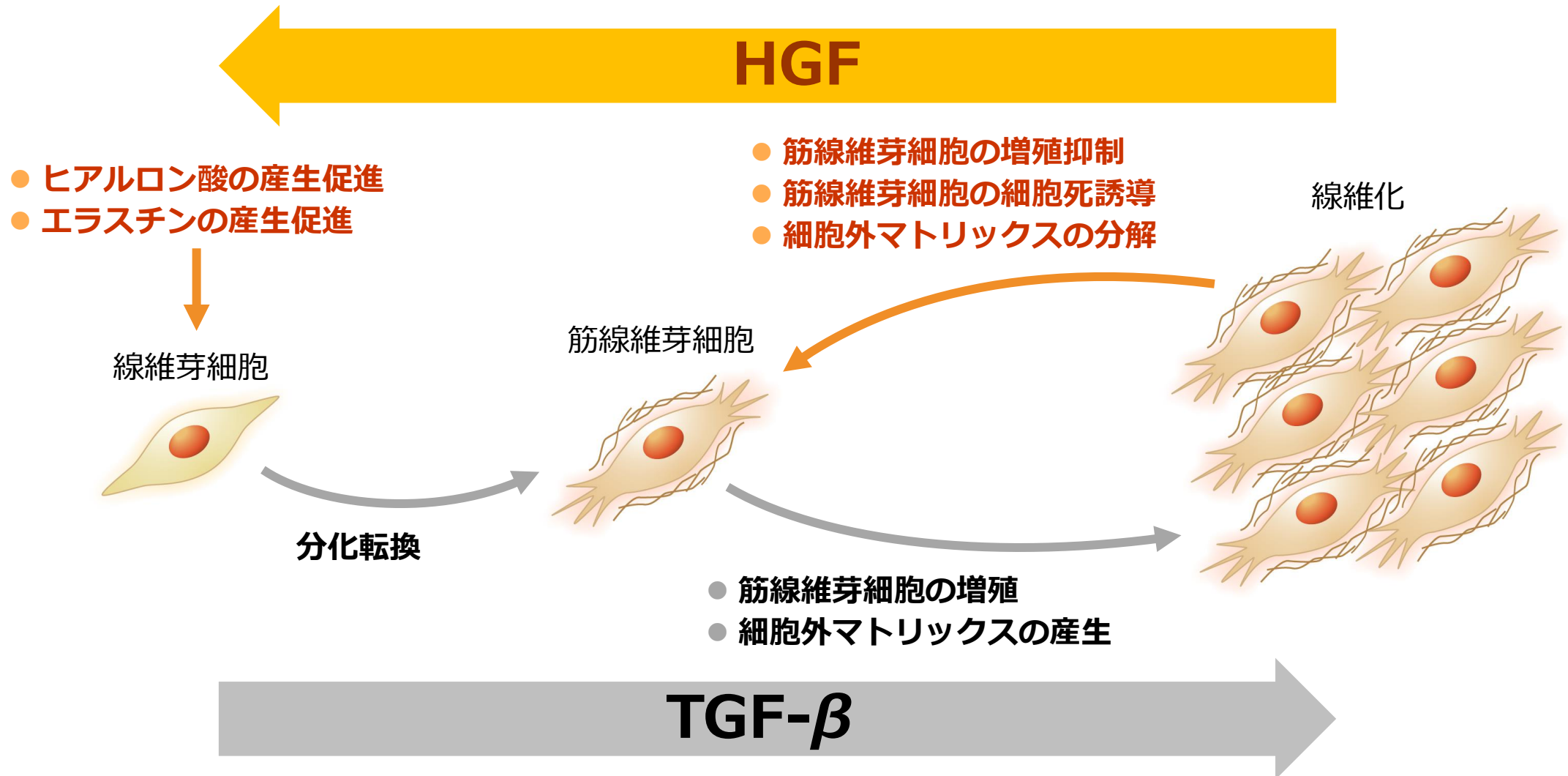


\* 出典：角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究。  
平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計



# 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癬痕モデル動物での薬効を確認



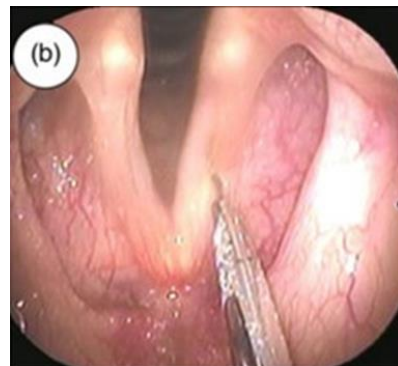
# 声帯癬痕 第 I / II 相試験の結果

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

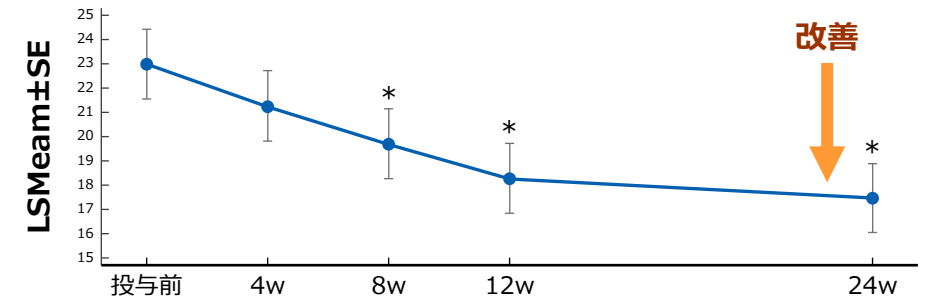
デザイン	オープンラベル、用量漸増試験 (各群6例)
患者母集団	20歳以上、65歳以下の声帯癬痕患者
用法用量	1μg、3μg、10μg/片側声帯/回 1回/週、計4回、 <b>両側声帯粘膜内局所投与</b>
主要評価項目	安全性 ⇒ <b>良好であった</b>
副次評価項目	有効性評価指標及び評価時期の探索 ⇒ <b>有効性指標として測定した5種類の評価項目のうち3種類の評価項目について改善の傾向がみられた</b>



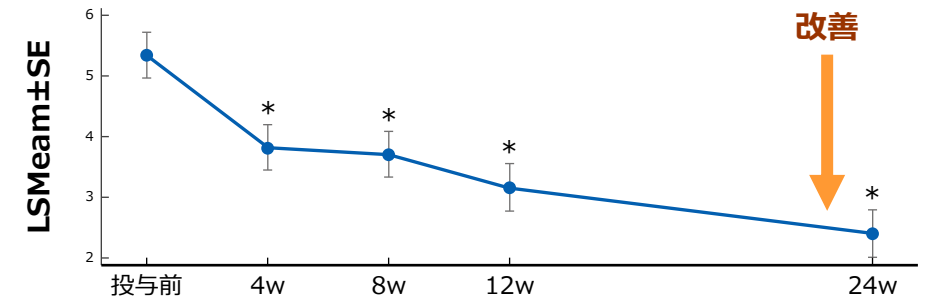
### 投与方法：

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)

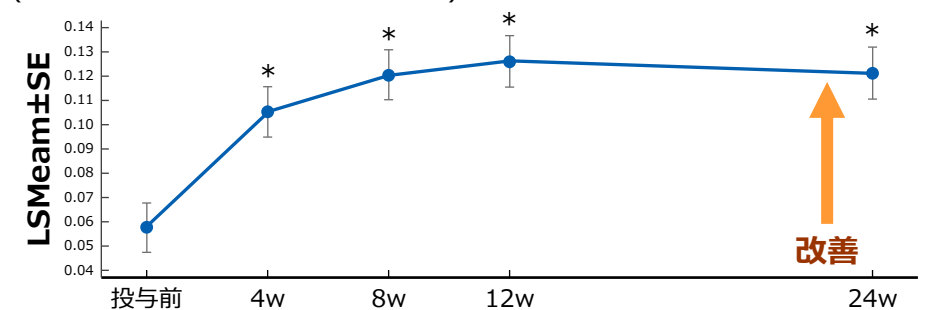


### GRBAS (第三者による聴覚的評価)



### Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

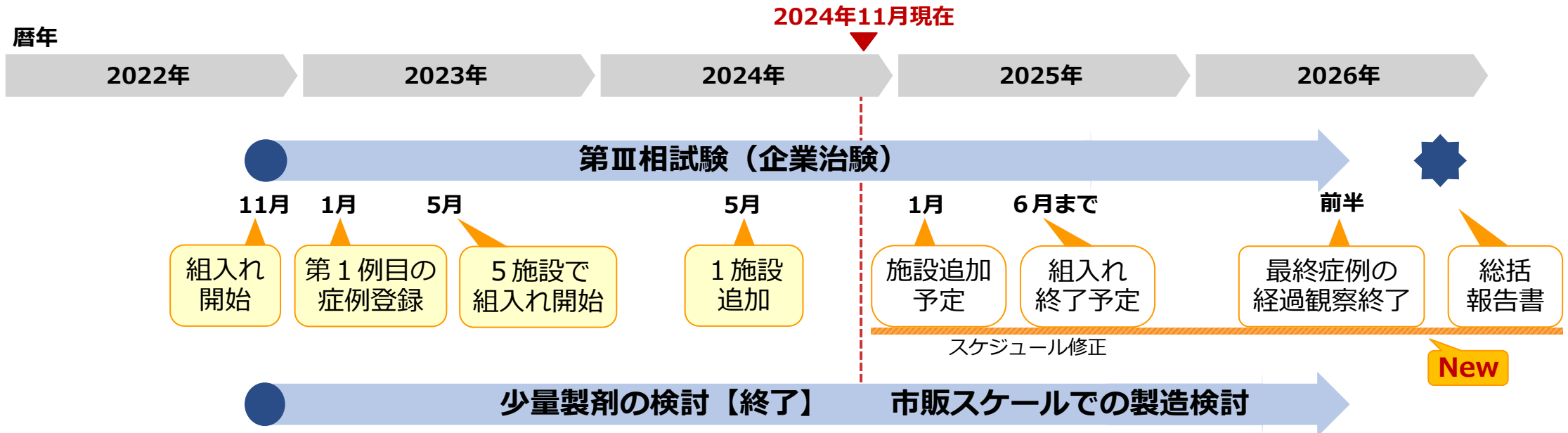


Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

# 声帯癥痕 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： 声帯癥痕（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、久留米大学医学部附属病院、東北大学病院、川崎医科大学附属病院、山王メディカルセンター、他1施設



\* 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\*： 1万人 (日本)、8.8万人 (先進国)
- 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)



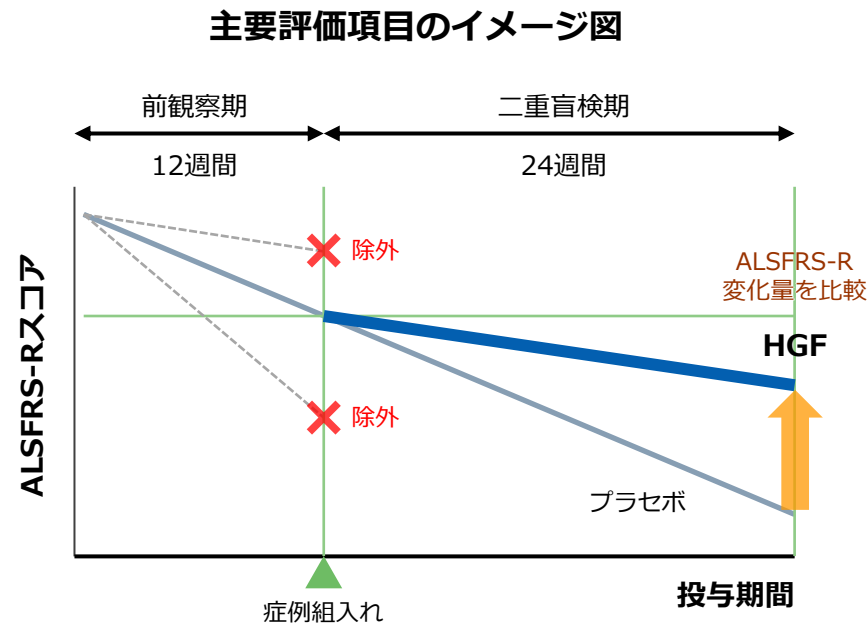
\* 出典：令和3年度末現在 特定医療費 (指定難病) 受給者証所持者数、Arthur et al. Nat. Commun. (2016)

\*\* 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  
実施中

- 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\*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



## データ解析（速報） 2022年8月12日付け当社リリース

- 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](https://center6.umin.ac.jp/cgi-open-bin/ctr/ctr_view.cgi?recptno=R000025102)

## 東北大学と追加解析に関する共同研究実施中（2024年4月～）

- 神経変性や神経炎症のバイオマーカーを測定し、HGF投与による効果を検証する（2025年3月終了予定）

New

\* 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。

---

# 成長戦略

---

2024年5月 今後の成長戦略を加速させるための資金調達（839百万円）を完了しました

手持ち資金及びCiCLE\*  
によりカバー

## 既存のレイトステージ パイプラインの推進

- 国内-脊髄損傷急性期：
- 国内-声帯癒痕：  
第Ⅲ相試験を終了し、  
自社で薬事承認取得を  
目指す





海外市場開拓/適応拡大に  
よる組換えヒトHGFタン  
パク質の事業価値の最大化  
→ 中長期的な企業価値の  
飛躍的な向上

「創薬バイオベンチャー  
からバイオ製薬企業へ」

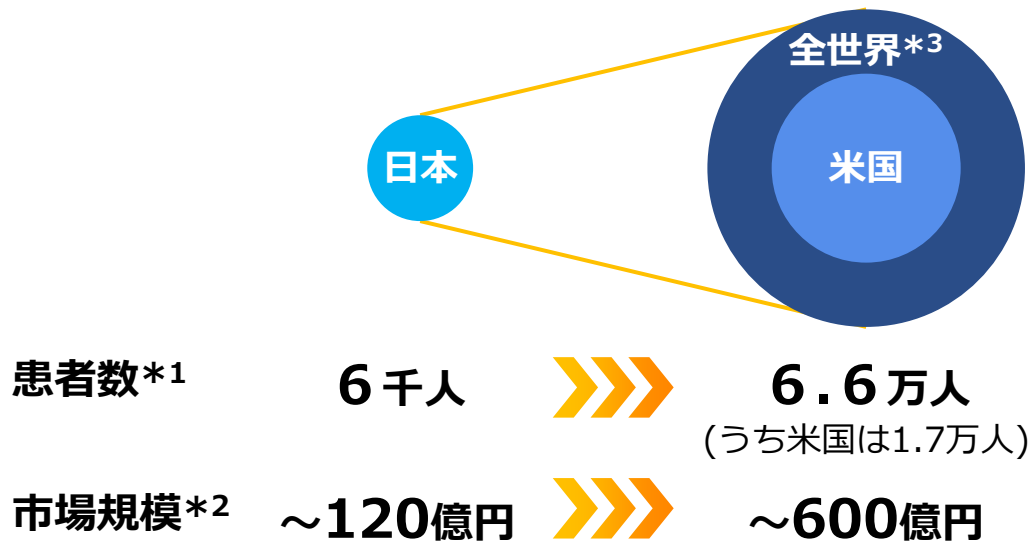


\* AMEDによる医療研究開発革新基盤創成事業。当社の研究開発課題「組換えHGFタンパク質を用いた難治性線維症治療薬の開発」は第6回公募に採択されている。

# 海外市場開拓：脊髄損傷急性期を対象とする米国での臨床開発

-  最大の医薬品市場である米国をターゲットとし、世界標準化を目指す
-  米国での開発戦略を明確化し、提携パートナーを獲得する
-  北米のKOLとのネットワーク構築
-  米国FDAと治験前相談を実施 (Pre-IND, Type C meetings) New

## 脊髄損傷急性期の対象患者数と市場規模



## 脊髄損傷急性期に対する競合状況

企業情報	ステージ	地域	開発品	構造・モダリティ
当社	第Ⅲ相	日本	KP-100 (rhHGF)	組換えヒトタンパク質
Eusol Biotech	第Ⅲ相	台湾	ES135 (rhFGF1)	組換えヒトタンパク質
AbbVie	第Ⅱ相	Global	ABT-555 (Elezanumab)	抗RGMa抗体
田辺三菱	第Ⅱ相	Global	MT-3921	抗RGMa抗体
University of Zurich	第Ⅱ相	欧州	NG-101	抗Nogo A抗体

### 日本市場に加え世界市場を目指す

### 競合他社よりも先に米国での第Ⅲ相試験開始を目指す

\*1 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, Spinal Cord Injury 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

\*2 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

\*3 高度治療が可能な先進国



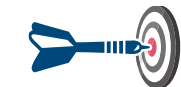
# 海外市場開拓：HGFタンパク質の全世界での安定供給に向けて

- 当社の国内での開発進捗、脊髄損傷急性期を対象とする米国での開発開始
- 当社が原薬供給しているクラリス・バイオセラピューティクス社の北米での開発進捗

今後の適応拡大、  
海外市場開拓



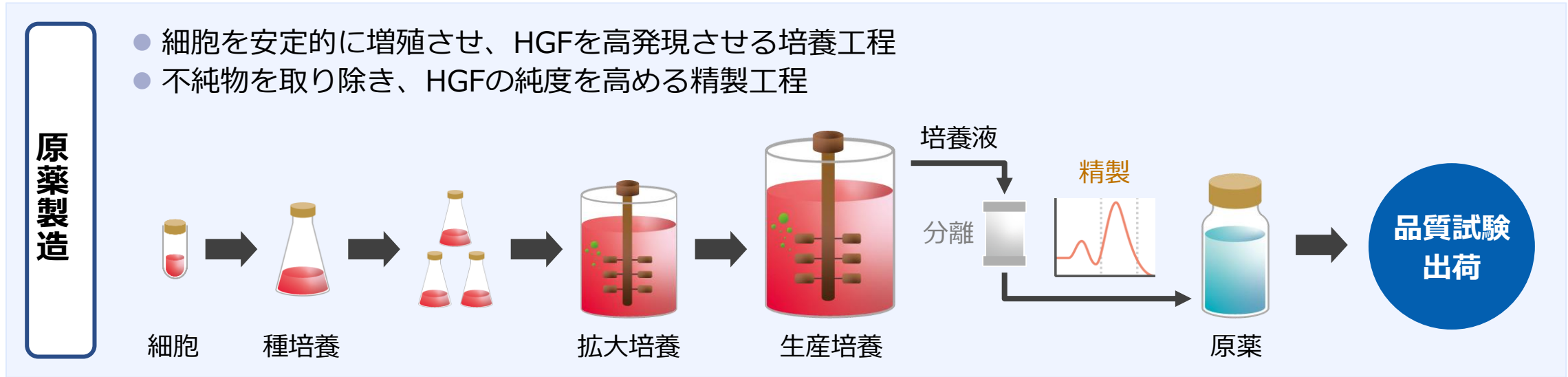
組換えヒトHGFタンパク質の必要量  
増大に対応するための製造法効率化  
に着手



2023年9月、クラリス社と協業開始



高発現株による試作製造終了 **New**



HGF高発現株  
の作製

培養工程及び精製工程の効率化

## 目的： 脊髄損傷急性期及び声帯癒痕に関する 海外提携先の獲得

- BIO 2024 International Convention  
(於米国サンディエゴ、2024年6月3～6日)
- 2nd Annual Spinal Cord Injury Investor  
Symposium  
(於米国サンディエゴ、2024年6月26, 27日)

複数社と秘密保持契約下で交渉継続

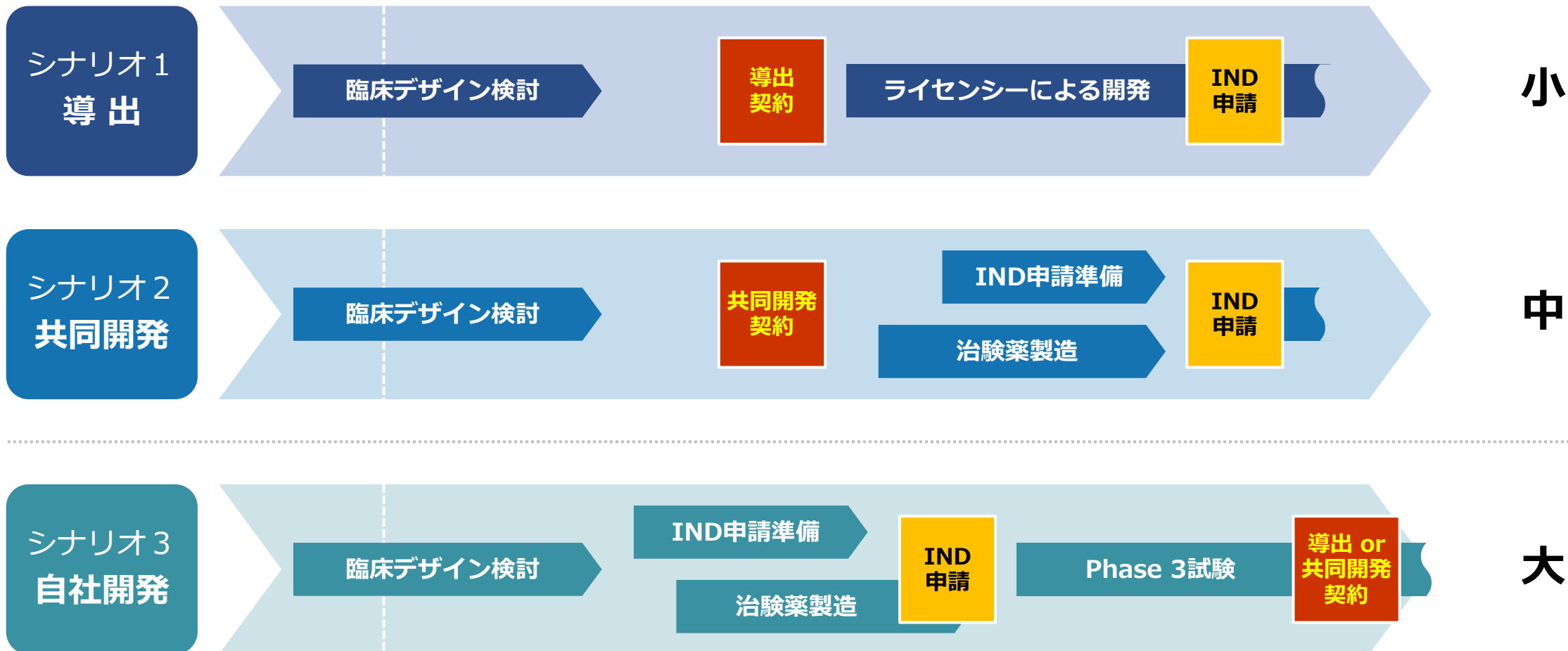
脊髄損傷はグローバルファーマ1社との  
交渉を重視 **New**



# 脊髄損傷急性期を対象とする海外での開発シナリオ

財務負担/  
資金需要  
将来の収益

2024年11月現在

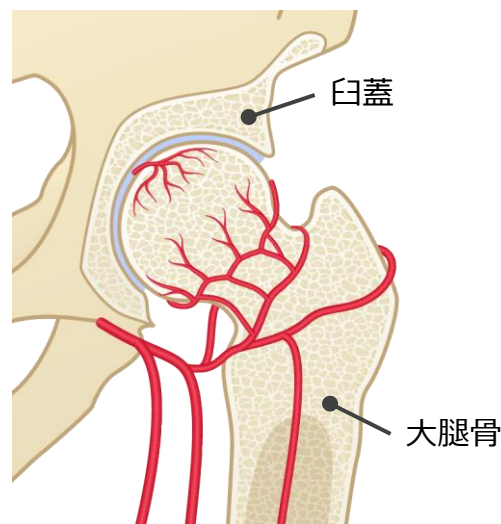


# 適応拡大の新たな可能性：大腿骨頭壊死症

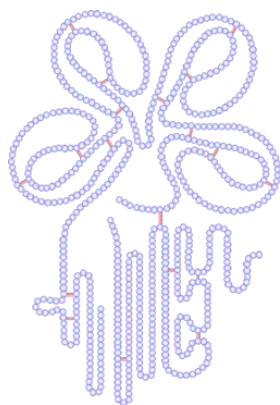
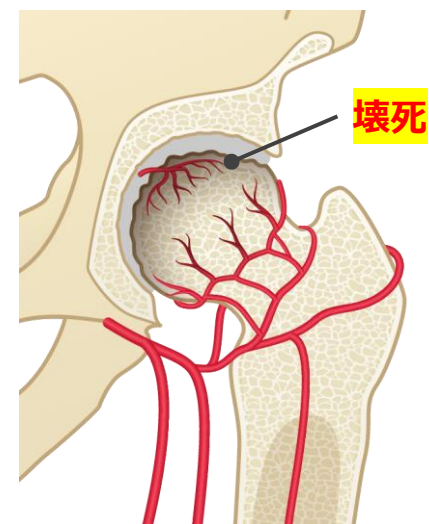
- 血流の低下により大腿骨頭に壊死が起こる
- 骨壊死に陥った部分が潰れることにより、痛みが出現



正常



大腿骨頭壊死



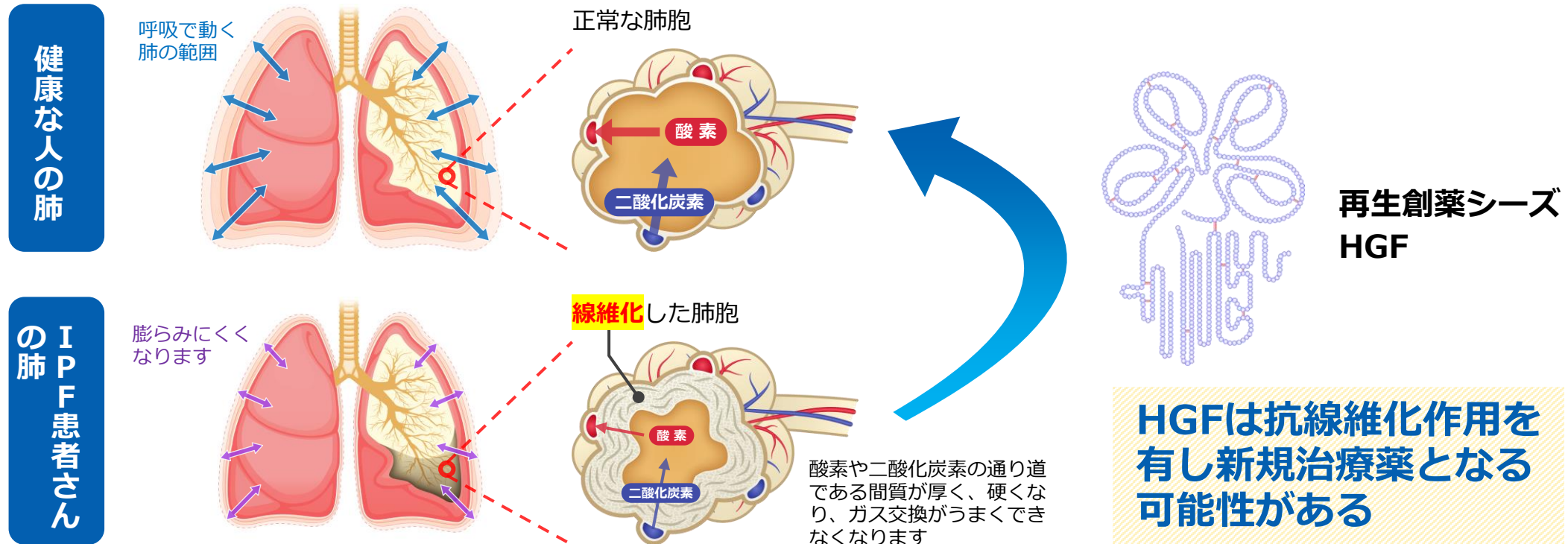
再生創薬シーズ HGF

- 日本における1年間の新規発生数は約2,000～3,000人
- 厚生労働省の指定難病に指定
- 原因不明、危険因子：ステロイド投与、アルコール、喫煙
- 既存の治療薬はない

**HGFは血管新生作用に加え骨再生作用を有し、新規治療薬となる可能性がある**

# 適応拡大の新たな可能性：特発性肺線維症（IPF）

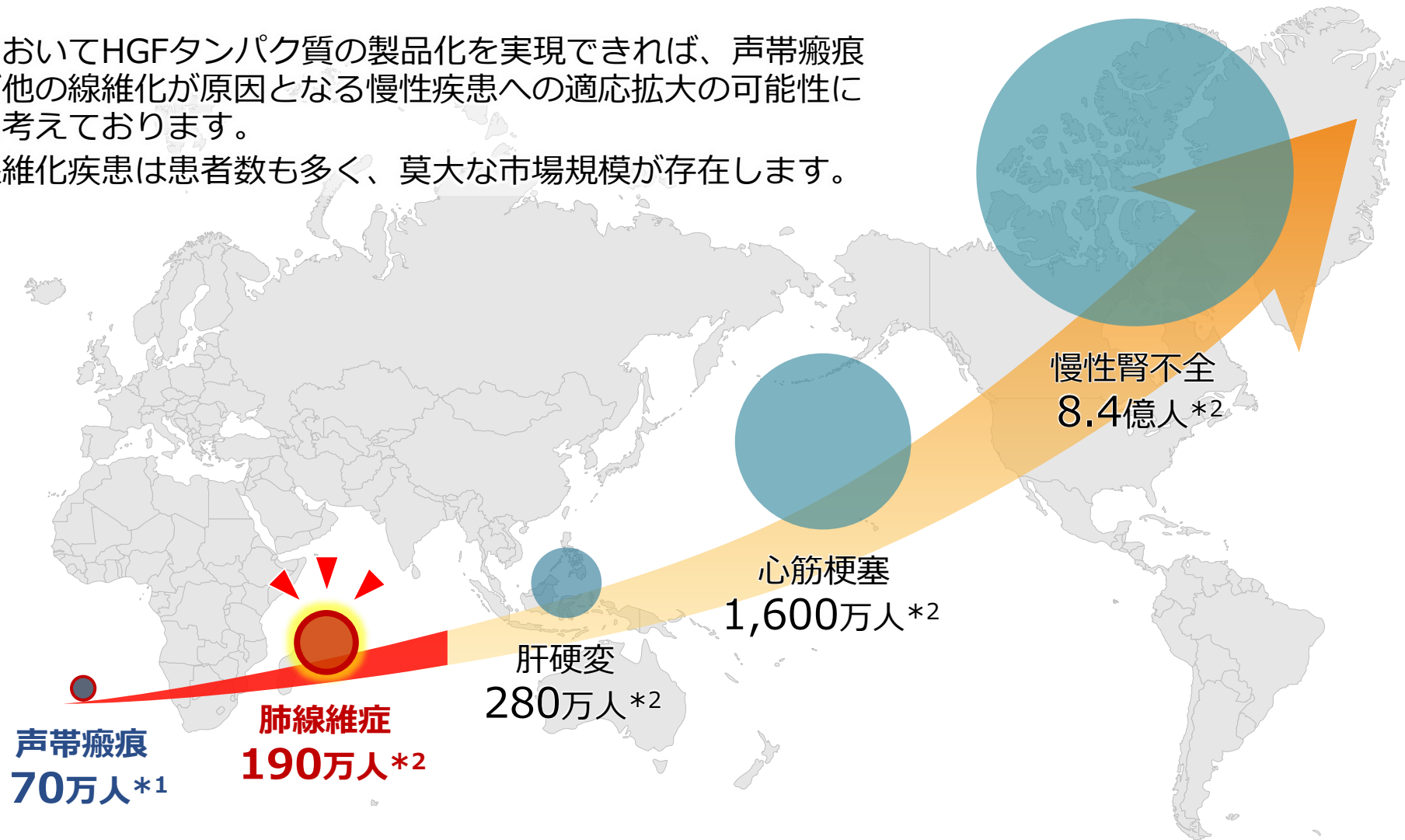
- 原因不明の間質性肺炎の一種
- 肺胞の壁が厚く硬くなる（線維化する）ことで呼吸が困難になる
- 予後が悪く、診断後の生存期間は3～5年
- 日本における年間の発症率は10万人対2.23人、有病率は10万人対10.0人
- 厚生労働省の指定難病に指定
- 既承認薬は2剤あるが、効果は限定的 →より効果の高い薬が望まれている



# 適応拡大：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.



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

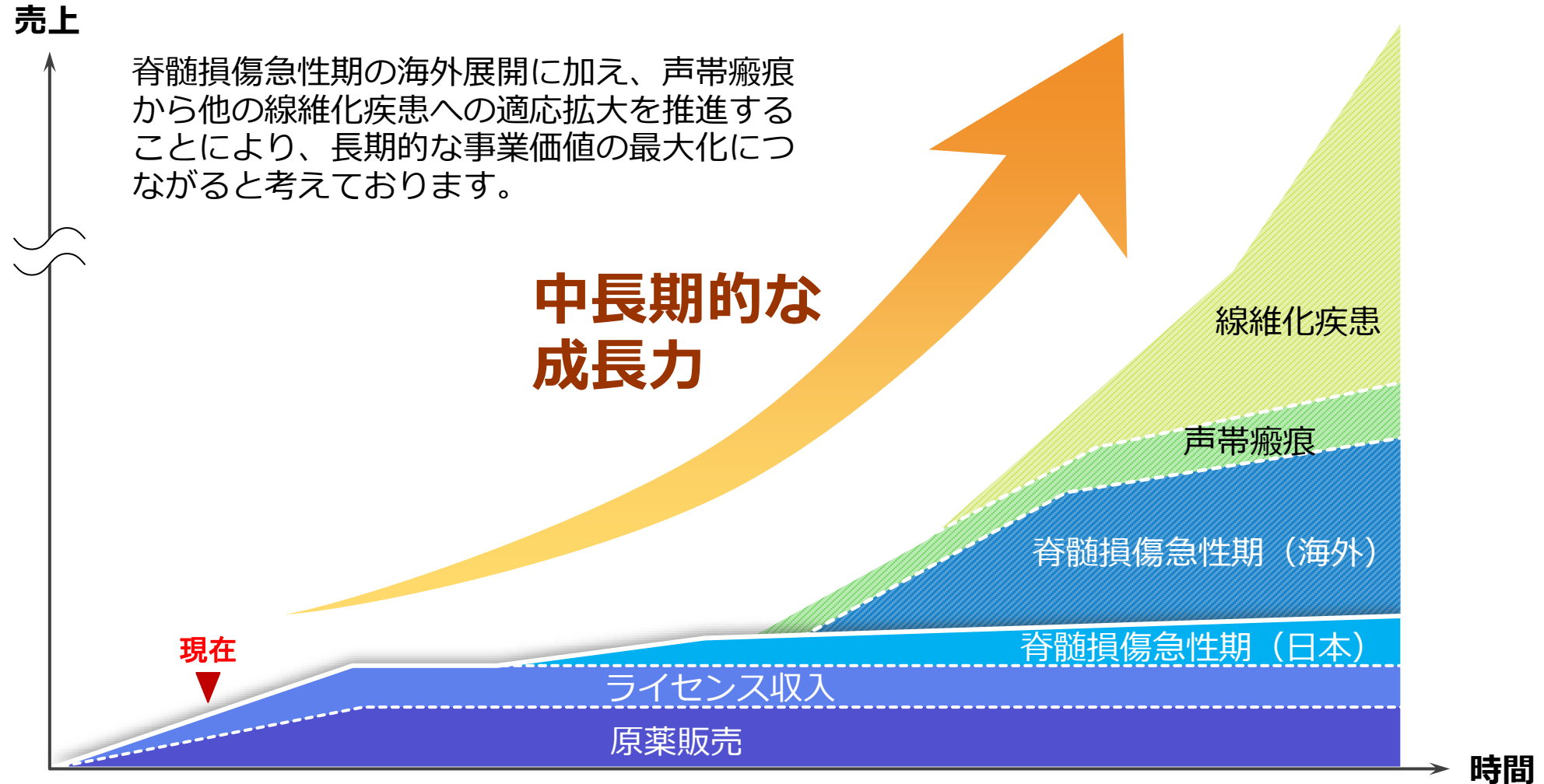
2) 坂井宏旭. 疫学調査. 総合リハ36:969-972,2008

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

## ハイブリッドビジネスモデル + 海外市場開拓 + 適応拡大



\* 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。



---

# 2024年9月期 通期決算概況

## 2025年9月期 業績予想

---

# 2024年9月期通期 経営成績の概況

## 損益計算書の推移 前年対比

(単位：百万円)

	2023年9月期 通期実績	2024年9月期 通期実績	増減	2024年9月期 内容
売上	69	80	10	● クラリス社からの技術アクセス フィー及びHGF原薬供給
売上原価	—	—	—	
販売管理費	958	897	△60	
研究開発費	716	643	△73	● 脊髄損傷の治験費用及び承認申請準備費用、米国開発に関する準備費用 ● 声帯癬痕の治験費用
営業損失	△888	△817	70	
営業外損益	36	62	26	● 補助金収入
経常損失	△852	△754	97	
法人税等	1	1	0	
当期純損失	△854	△756	97	

# 2024年9月期通期 経営成績の概況

## 通期業績予想との差異

(単位：百万円)

	2024年9月期 業績予想【A】 2023年11月13日	2024年9月期 業績予想(修正) 2024年8月9日	2024年9月期 通期実績【B】	増減 【B-A】	主な増減理由
売上	272	79	80	△191	<ul style="list-style-type: none"> <li>● クラリス社からの技術アクセスフィーは想定どおり</li> <li>● 承認申請に係るマイルストーン収入は、来期に期ずれ</li> </ul>
売上原価	63	—	—	△63	<ul style="list-style-type: none"> <li>● マイルストーン収入に関連する原価も、来期に期ずれ</li> </ul>
販売管理費	1,342	1,082	897	△444	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 研究開発費の発生時期の期ずれ</li> </ul>
研究開発費	1,059	814	643	△415	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 脊髄損傷承認申請費用及び声帯癒痕治験関連費用の期ずれ</li> <li>● 新規パイプライン開発関連費用の発生時期の期ずれ</li> </ul>
営業損失	△1,133	△1,003	△817	315	
営業外損益	26	62	62	36	
経常損失	△1,107	△940	△754	352	
法人税等	1	1	1	0	
当期純損失	△1,109	△942	△756	352	

# 2024年9月期通期 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)

	2023年9月期 期末	2024年9月期 期末	増 減	主な増減理由
流動資産	2,617	2,755	138	● 現預金の増加
現預金	2,136	2,313	176	● 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	1	0	
資産合計	2,618	2,757	138	
流動負債	209	128	△80	● 製造開発に係る未払金の増加
固定負債	387	520	132	● AMEDからの受取補助金に対応する 長期預り金の増加
負債合計	596	648	51	
純資産合計	2,021	2,108	86	● MSフロント新株発行による資本増加 ● 当期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,618	2,757	138	
自己資本比率	76.6%	75.8%		

# 2024年9月期通期 キャッシュ・フローの概況

## キャッシュ・フロー計算書の概要 前年対比



(単位：百万円)

	2023年9月期 通期実績	2024年9月期 通期実績	2024年9月期 内容
営業活動による キャッシュ・フロー	△689	△661	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 棚卸資産の減少額:69</li> <li>● 税引前当期純損失:△754</li> <li>● 未払金の減少額:△135</li> </ul>
投資活動による キャッシュ・フロー	△120	△121	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 定期預金の預入:△121</li> </ul>
財務活動による キャッシュ・フロー	69	838	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 新株予約権の行使による株式の発行による収入:838</li> </ul>
現金及び現金同等物の増減額	△740	55	
現金及び現金同等物の期首残高	2,502	1,761	
現金及び現金同等物の期末残高	1,761	1,816	

# 2025年9月期 業績予想

## 損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2024年9月期 通期実績	2025年9月期 業績予想	増減	主な増減理由
売上	80	 272*	191	<ul style="list-style-type: none"> <li>● クラリス社からの技術アクセスフィー</li> <li>● 丸石製薬社からのマイルストーン収入</li> </ul>
売上原価	—	63	63	
販売管理費	897	1,587	690	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 研究開発費の増加</li> <li>● 薬事承認後に向けての社内体制整備費用及び採用増による人件費増加</li> </ul>
研究開発費	643	 1,223	580	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 脊髄損傷の国内薬事申請費用等の増加及び米国開発に関する準備費用</li> <li>● 声帯癒痕の治験費用の増加</li> <li>● 新規パイプライン開発関連費用</li> </ul>
営業損失	△817	△1,379	△561	
営業外損益	62	—	△62	● 補助金収入の減少
経常損失	△754	△1,379	△624	
法人税等	1	1	—	
当期純損失	△756	△1,380	△624	

\* 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。

# 2025年9月期 業績予想 – 研究開発費の内訳 –

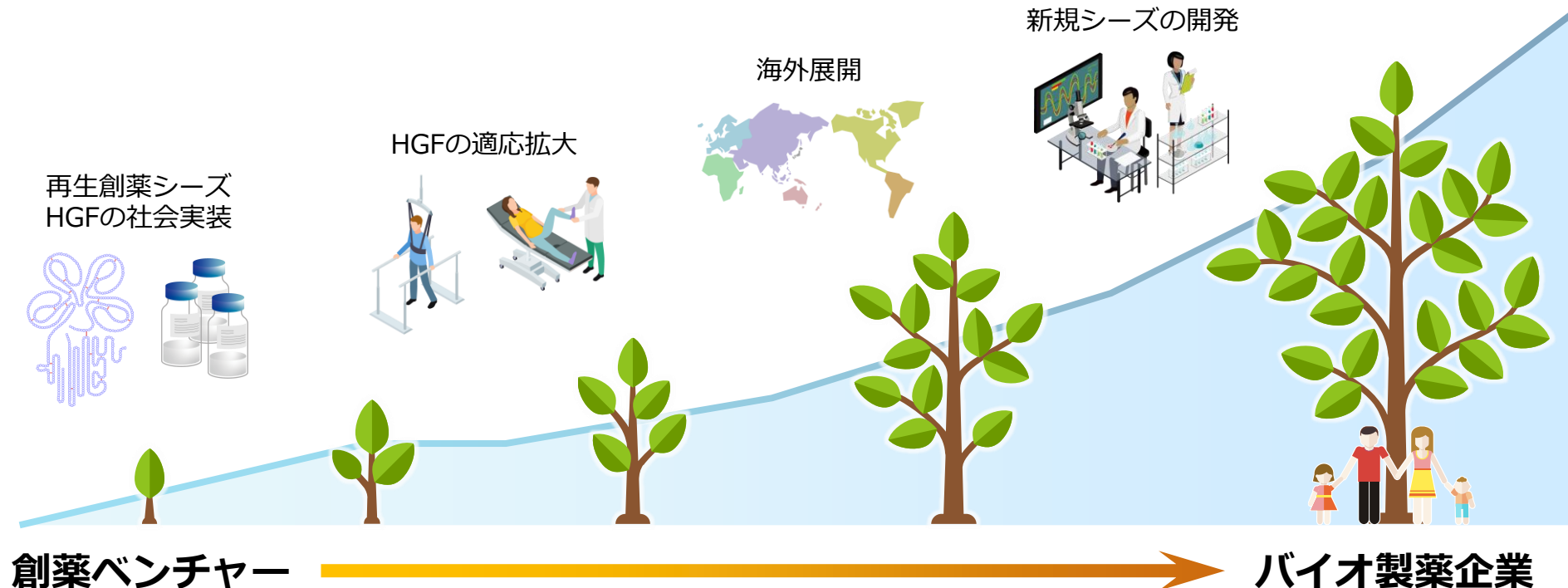
(単位：百万円)

		2024年9月期 通期実績	2025年9月期 予想	2025年9月期 内容
パイプ ライン	脊髄損傷急性期	236	480	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 国内薬事申請費用及び米国開発に関する調査・準備費用等</li> <li>● 脊髄損傷急性期の商品化に向けた各種試験費用</li> </ul>
	声帯癒痕	208	273	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 第Ⅲ相試験の治験費用</li> </ul>
	ALS	—	25	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 第Ⅱ相試験の追加解析費用及び関連研究費用</li> </ul>
HGF製造開発に係る各種試験		70	33	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 原薬開発に係る各種試験費用</li> </ul>
その他		127	411	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 新規パイプライン開発に向けての研究取組強化</li> </ul>
研究開発費 合計		643	1,223	

## 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。**

**質疑応答に移らせていただきます。**

---

# Appendix

---



## 代表取締役社長 安達 喜一

Paradigm Genetics, Inc.、(株)三井物産戦略研究所バイオテクノロジーセンター、2004年4月より当社研究開発部長、取締役副社長、取締役事業開発部長を歴任、2016年12月より当社代表取締役社長(現任)

## 取締役経営管理部長 村上 浩一

(株)リクルート、(株)フレックス、(株)アドバンスクリエイト、(株)エトヴォス、NHSインシュアランスグループ(株)、2021年12月より当社取締役経営管理部長(現任)

## 取締役医薬開発部長 早田 大真

2004年5月当社入社、研究開発部研究員、医薬開発部マネージャー、シニアマネージャーを歴任、2021年6月より医薬開発部長、2022年12月より取締役医薬開発部長、2023年8月より取締役医薬開発部長兼薬事部長(現任)

## 取締役信頼性保証部長 茅野 善行

和研薬(株)、2005年10月から2010年12月まで当社研究開発部研究員、岡山大鵬薬品(株)、2019年4月より当社再入社、医薬開発部マネージャー、シニアマネージャーを歴任、2023年1月より信頼性保証部長、2023年12月より取締役信頼性保証部長(現任)

## 取締役 友保 昌拓

雪印乳業(株)、中外製薬(株)、三菱UFJキャピタル(株)、アニコムキャピタル(株)、(株)友保総合研究所代表取締役社長(現任)、(株)キノファーマ取締役(現任)、(株)GenAhead Bio 社外取締役(現任)、ファーマバイオ(株)社外取締役(現任)、(株)バイオマトリックス研究所社外取締役(現任)、2016年12月より当社取締役(現任)

## 社外取締役 吉野 公一郎

鐘紡(株)、日本オルガノン(株)、カルナバイオサイエンス(株)代表取締役社長(現任)、(株)メディネット社外取締役(現任)、2018年12月より当社社外取締役(現任)

## 社外取締役 福井 真人

ゼノアックリソース(株)(現ゼノジェンファーマ(株))、日本全薬工業(株)取締役(現任)、ゼノジェンファーマ(株)代表取締役社長(現任)、2020年12月より当社社外取締役(現任)

## 監査役 二宮 和人

(株)クラレ、(株)エムズサイエンス  
(株)日本ステントテクノロジー  
アドバンテック(株)、2018年12月より当社社外監査役(現任)

## 監査役 本川 雅啓

ベリングポイント(株)、あずさ監査法人、  
D&A総合会計事務所所長(現任)、新月有限  
責任監査法人代表社員(現任)、ドクターズ  
モバイル(株)社外監査役(現任)、リバスキュ  
ラーバイオ(株)社外監査役(現任)、2018年  
12月より当社社外監査役(現任)

## 監査役 山口 要介

北浜法律事務所、(株)大阪証券取引所に出向、  
岩谷・村本・山口法律事務所共同パート  
ナー(現任)、akippa(株)社外監査役(現任)、  
(株)フィットクルー社外監査役(現任)、(株)  
センターモバイル社外監査役(現任)、  
2018年12月より当社社外監査役(現任)

# 脊髄損傷の主な競合品（第Ⅱ相以上）

2024年10月末時点

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 終了	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 (組入れ終了)	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 (組入れ終了)	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 終了	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 ※プラセボとの有意差示せず
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）

2024年10月末時点

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

\* 出所：米国の臨床試験登録データベースClinicalTrials.govより当社作成

# ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

2024年10月末時点



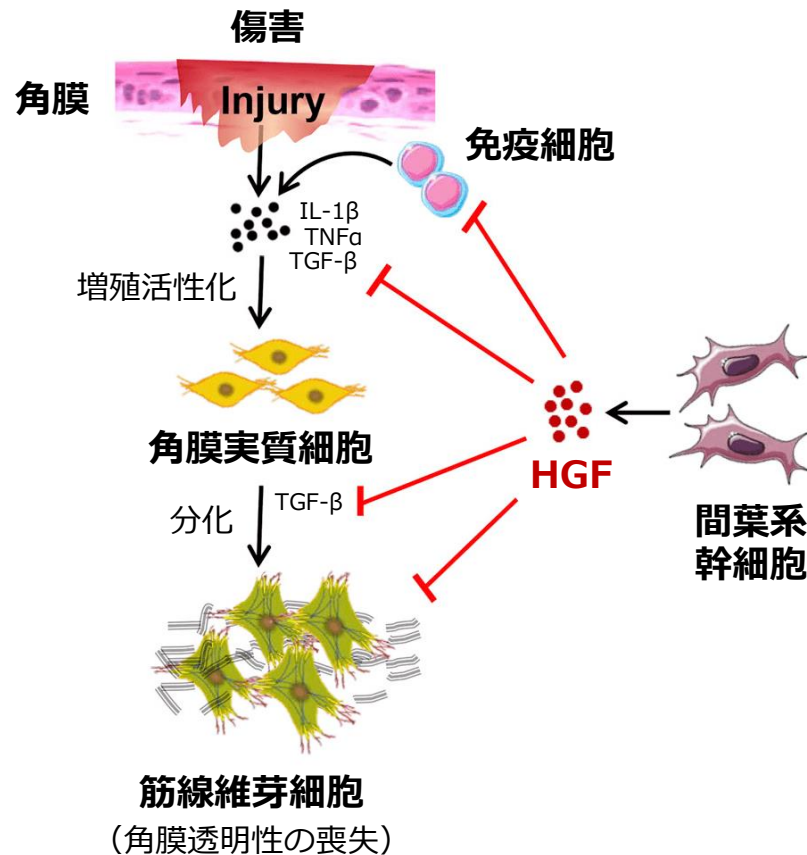
Kringle  
Pharma

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/スイス承認、USオーファン指定
イーザイ/徳島大学	承認	日本	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 ※国内オーファン指定、承認申請(2024年1月)、承認(2024年9月)
Amylyx Pharmaceuticals	承認後 自主撤退	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 ※P3トップライン公表、主要・副次評価項目未達、市場からの自主撤退を発表(2024年4月)。
Biogen	(迅速) 承認 申請	US 欧州	Qalsody (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 ※USは迅速承認(accelerated approval)。正式承認は実施中のPhase3試験結果次第(2027年)。
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、条件付き承認について欧州医薬品庁(EMA)より否定的見解(2024年10月)
Brainstorm-Cell Therapeutics	第Ⅲb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 ※FDAとSPA合意、P3b開始へ
Ferrer	第Ⅲ相 終了	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 ※P3トップライン公表、主要・副次評価項目未達(2024年1月)
MediciNova	第Ⅱb/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トラック指定
当社/東北大学	第Ⅱ相 終了	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 ※追加解析(バイオマーカー測定)実施中

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



- 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



- 神経栄養性角膜炎に対する第 I / II 相試験  
NCT04909450 【終了】
- 角膜上皮幹細胞疲弊症に対する第 I 相試験  
NCT06452316 【実施中】
- 角膜瘢痕に対する第 I 相試験  
NCT06257355 【実施中】