2025年９月期
第２四半期決算説明会

2025年５月16日

クリングルファーマ株式会社
（東証グロース：4884）

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

アジェンダ

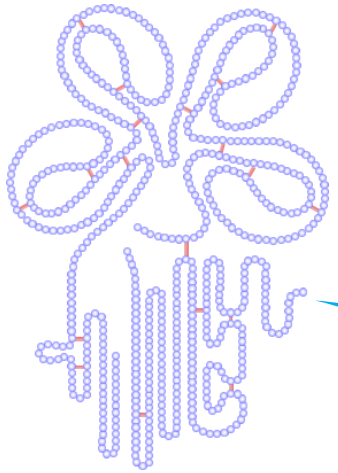
- **2025年９月期上半期のトピックス**
- **開発パイプラインの進捗状況**
  - 脊髄損傷急性期
  - 声帯瘢痕
  - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **成長戦略**
- **2025年９月期第２四半期決算概況**
  - 経営成績の概況
  - 財政状態の概況
- **Appendix**

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

会社概要

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
オフィス	大阪市北区中之島４-３-51 Nakanoshima Qross 未来医療R&D センター10階
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	12百万円（2025年３月末時点）
役員数	取締役7名、監査役３名
従業員数	18名（2025年３月末時点）

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

2025年９月期上半期のトピックス（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.12
  - PMDA及びFDAとの協議を継続
- **声帯瘢痕**　スライドNo.18
  - 第Ⅲ相臨床試験の実施医療機関を２施設追加　(2025年１月)
- **ALS**　スライドNo.20
  - 第Ⅱ相臨床試験の追加解析を2025年９月まで延長　(2025年４月)

New

バイオ製薬企業に成長するための環境整備

- **「第一種医薬品製造販売業」の許可取得**　(2025年１月)
  スライドNo.40
- **「Nakanoshima Qross オフィス」の開設**　(2025年４月)
  スライドNo.34

New

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

開発パイプラインの進捗状況

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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、声帯瘢痕及び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	声帯瘢痕	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			

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

開発パイプライン
– 脊髄損傷急性期 –

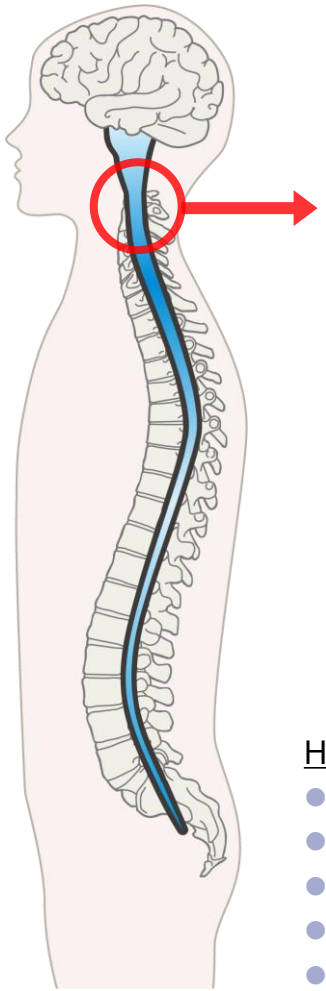
疾患の特徴

- 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)

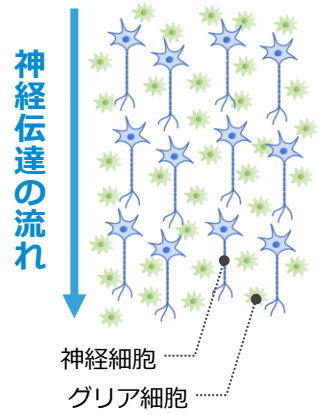
* 出典： Miyakoshi et al. Spinal Cord 2021 Jun;59(6):626-634.、National Spinal Cord Injury Statistical Center, Traumatic Spinal Cord Injury Facts and Figures at a Glance (2023)、及び総務省統計局「世界の統計2023, 世界人口の推移」を基に当社推計

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷急性期にHGFに期待する治療効果

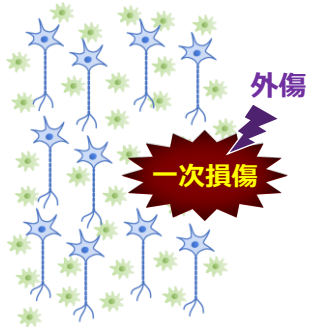


健康な状態



運動機能の発現

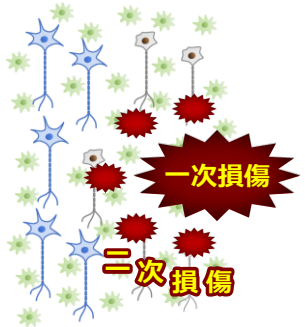
受傷直後



一次損傷

直接損傷を受けた細胞の死

急性期

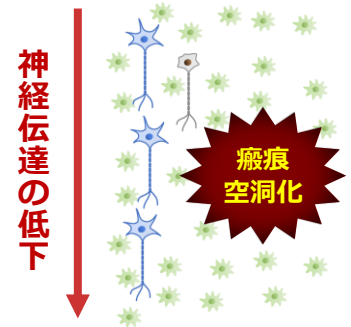


二次損傷

一次損傷を受けた細胞から神経毒性物質が放出され、周辺細胞が損傷

約4週間

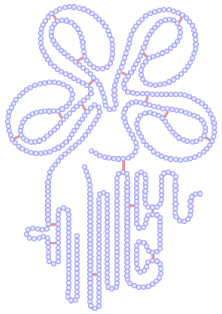
慢性期



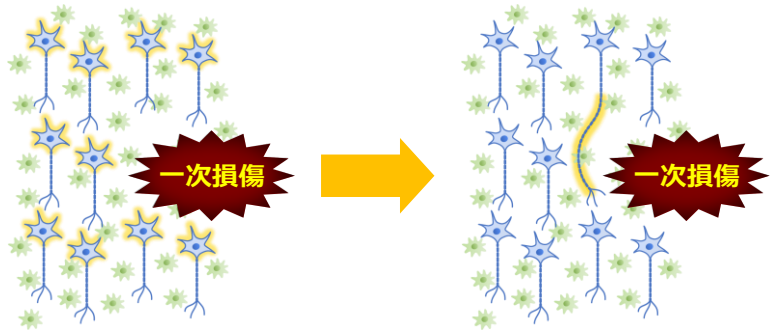
運動機能の低下

HGFのマルチな作用機序

- 神経保護
- 抗炎症作用
- 血管新生
- 軸索再生、再髄鞘化
- シナプス可塑性の増強



HGF投与



細胞の保護により二次損傷を抑制する

運動機能の回復

生存した神経細胞の突起伸長を促進することにより、新たな神経伝達経路を形成、運動機能の回復

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

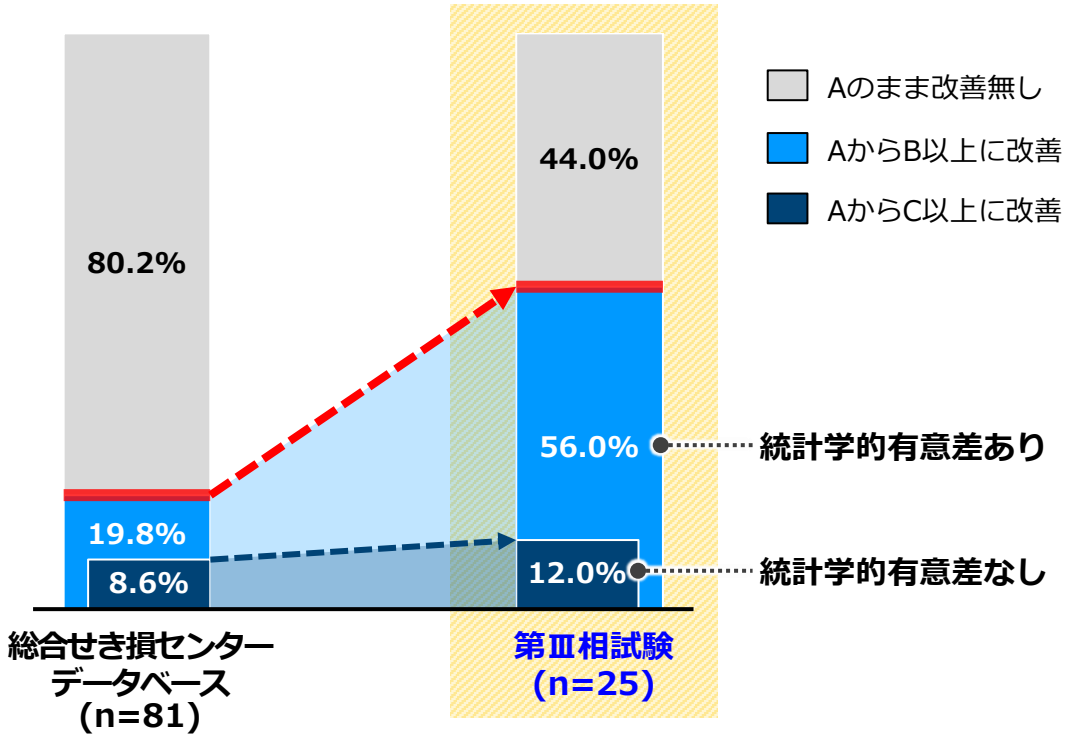
脊髄損傷急性期　第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

終了

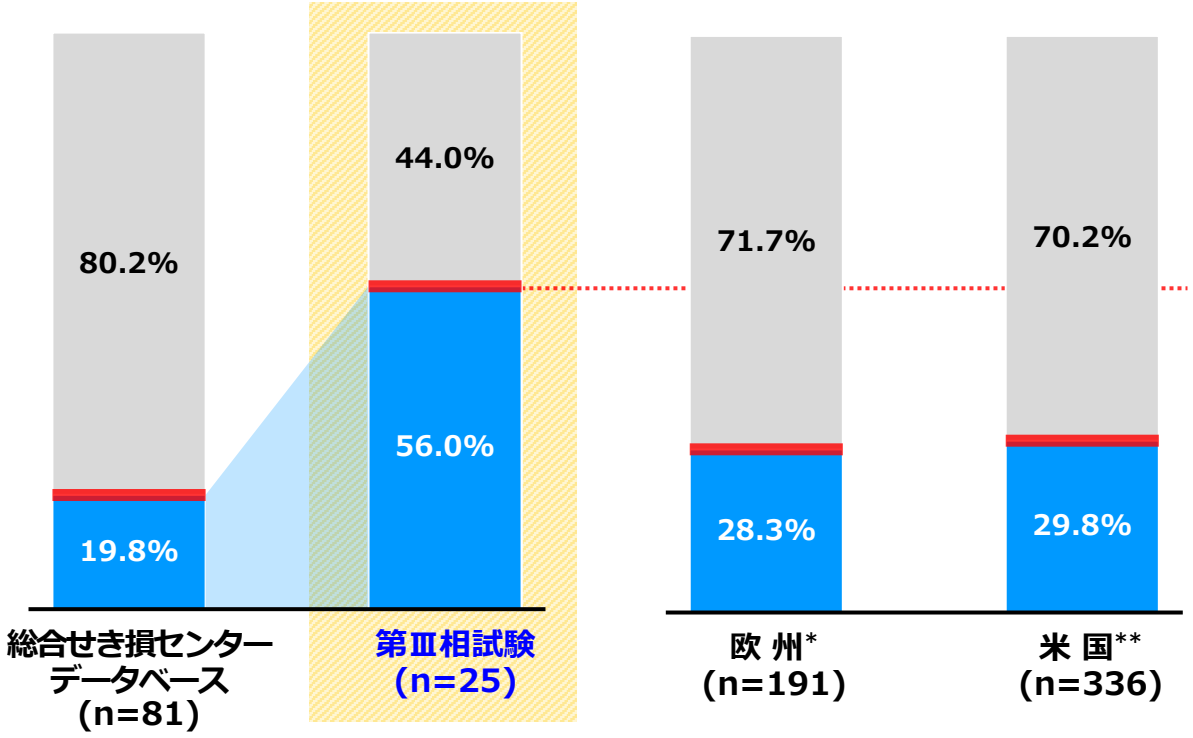
Kringle Pharma

- 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：　頚髄損傷 (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－



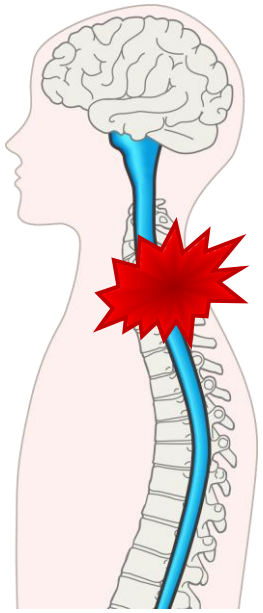
* Spiess et al, J Neurotrauma. 2009. European Multicenter Study on Human Spinal Cord Injury (EM-SCI database) 2003-2007, baseline within 15 days, discharge after 6 months.

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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

急性期完全麻痺患者に対するHGFの効果

急性期
完全麻痺

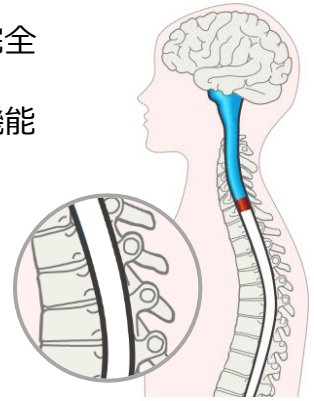


HGF投与がなければ
約70%の患者は
完全麻痺のまま

HGF投与により
半数以上がB以上に
改善

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

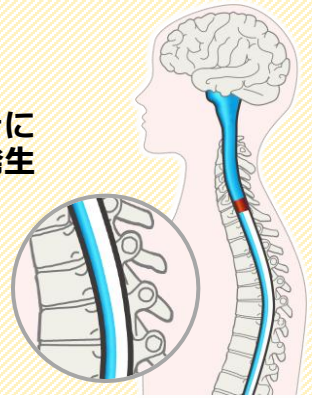


完全四肢麻痺の死亡リスクは、
不全四肢麻痺の死亡リスクの
5倍以上（退院後１年未満）

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

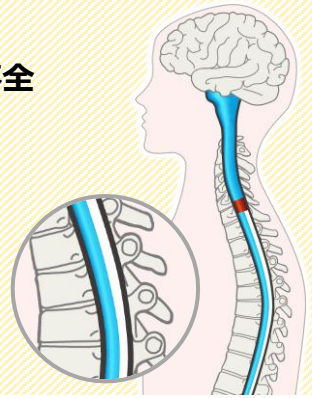
不全麻痺（運動喪失）
AIS B

- **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**



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

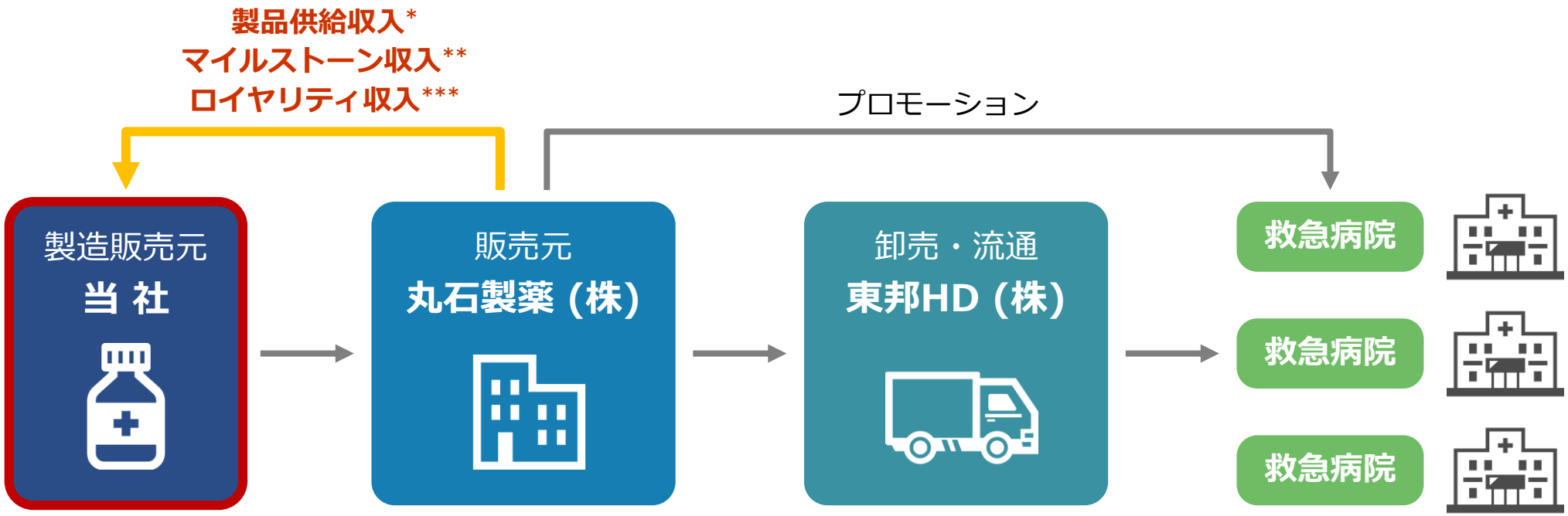
All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷急性期　承認申請に向けた準備状況

● **第Ⅲ相試験**	事後解析	**終了**
	総括報告書の作成	**終了**
● **PMDAとの協議**	事前面談	**終了**
	↓	
	申請前相談	**協議を継続中**
	↓	
	製造販売承認申請	2025年５月以降 **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	**終了**
	製造販売業許可申請	**終了**
	製造販売業許可取得	**終了**

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷急性期　薬事承認後のサプライチェーン



丸石製薬(株)

- 周術期・急性期医療のスペシャリティーファーマ
- 国内の麻酔薬トップシェア
- 全国の救急病院にアクセス

東邦ホールディングス（株）

- 国内大手医薬品卸
- 「正確」「迅速」「安心」な物流ネットワーク

* 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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

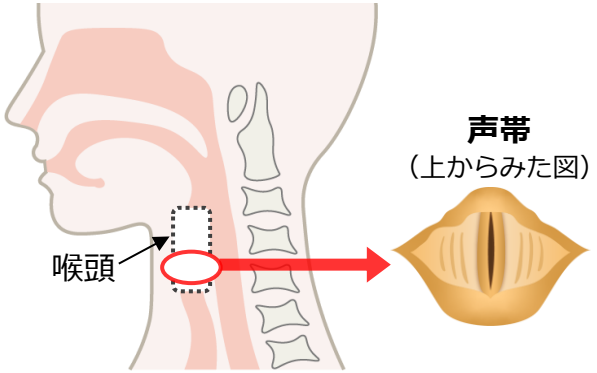
開発パイプライン
– 声帯瘢痕 –

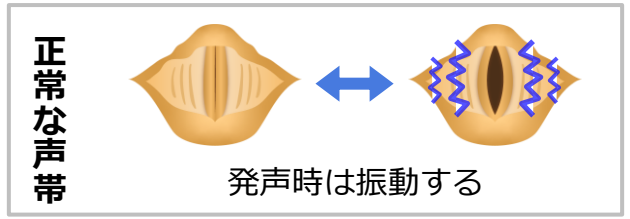
声 帯

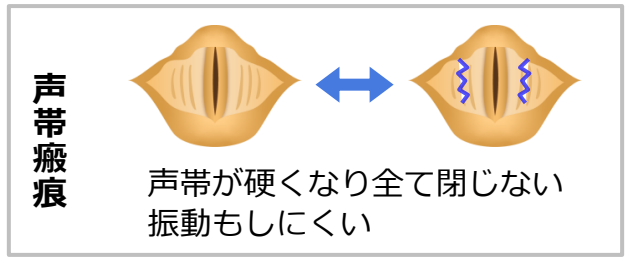
- 1秒間に200～300回振動して発声
- 表面は粘膜、内側は筋肉や靭帯からなる層構造

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



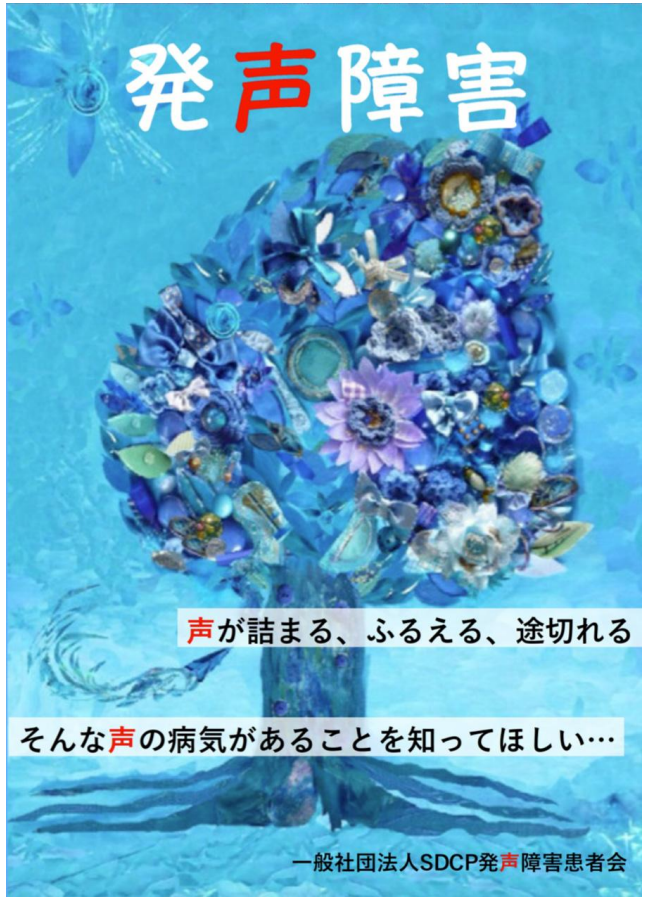




* 出典： 角田紘一：声帯溝症の診断治療の確立と標準化に向けたガイドラインの作成に関する研究.
平成21年度総括・分担研究報告書、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患克服研究事業、及び総務省統計局「世界人口の推移」を基に当社推計

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

発声障害の患者さんの声



一般社団法人SDCP発声障害患者会
リーフレットより転載

授業中いつ当てられるか、ちゃんと声が出るか、毎日毎時間びくびくしてる。

「声が出なくて辛い」って打ち明けたら、「気にするな」って言われた。毎日死にたいほど悩んでるのに。

普通に返事したい。自分の名前言えるようになりたい。

当てられる授業の前は仮病使って保健室に行く。保健室の先生にはたくさん助けられてる。

「声の震えが気になる」と皆の前で指摘を受けた。

発声障害をもっと知ってもらいたい。担任に協力してもらったり、自分でも説明したり頑張ってる。

新学期の自己紹介が怖い。

発表や本読みは辛い。友達が助けてくれてます。

教科書読むのを当てられて、途中で声が震えすぎて読めなくなったら、先生に「最後まで読んで」ってキレられた。

声出そうとしてから言えるまで5秒はかかる。誰もそんなに待ってくれない。

挨拶しない人だと思われるのが辛い。

本読み。しーんとした教室で、自分の泣いてるみたいな震えた声だけが響く。本当に泣きそうになってくる。

友だちに「声いっつも震えてるからヤギのモノマネ上手そう！やってみて！」っていわれた。

卒業式で返事ができるか、不安。

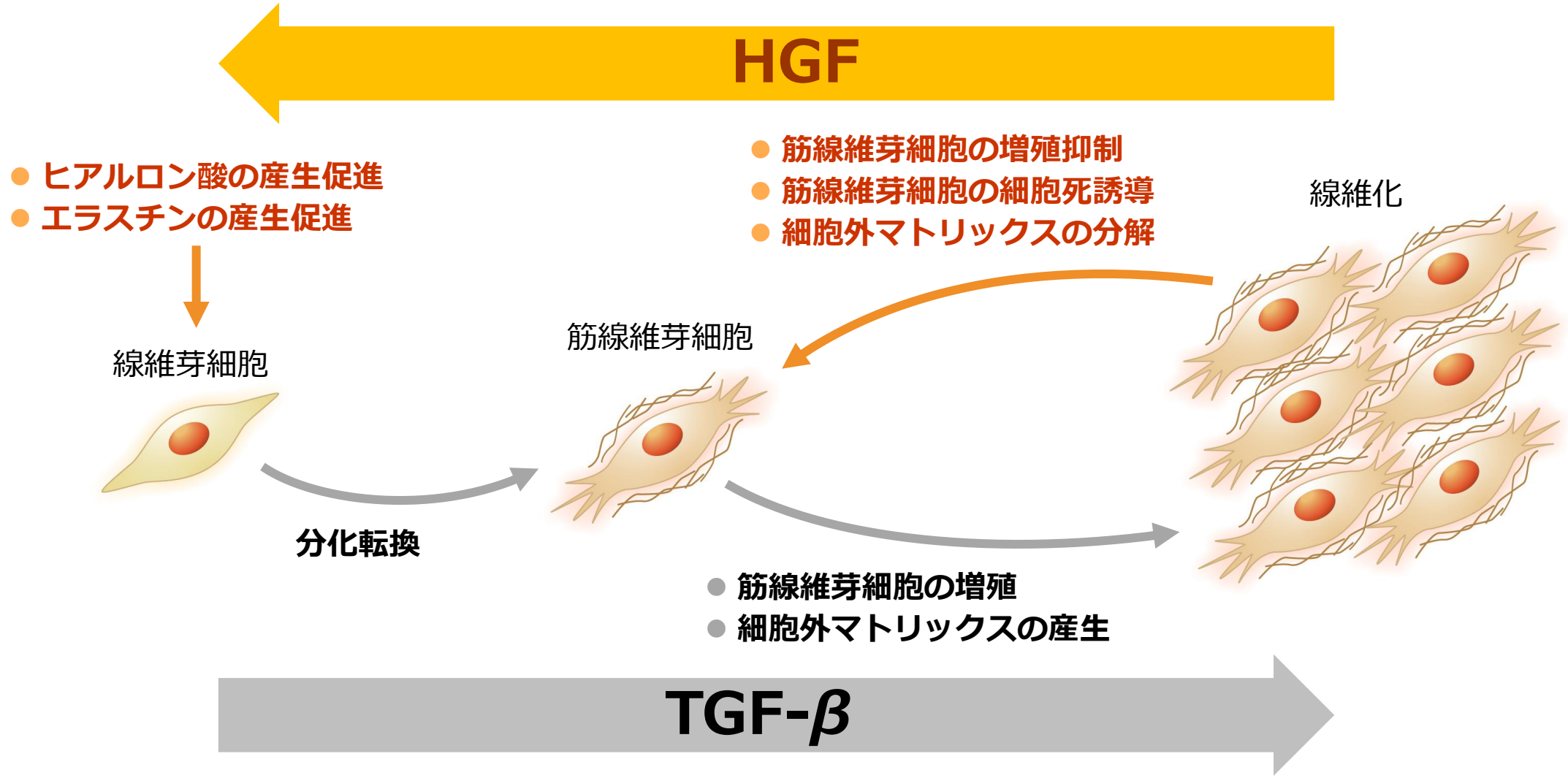
「おはよう」「ありがとう」「もしもし〇〇です」
誰もが毎日のように言っている言葉。でも、私たちにはそれが上手く言えません。
伝えたいことがあっても、声が出ない・・・
だけど一番つらいのは、理解してもらえないこと。
「声の病気」なんだと知っていただけるだけで　気持ちがラクになります。
そして、私たちの聞きにくい声に　ほんの少し耳を傾けようとしていただけたら　本当にうれしいです。

※ ハイライトは当社による

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

声帯瘢痕に対する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瘢痕モデル動物での薬効を確認



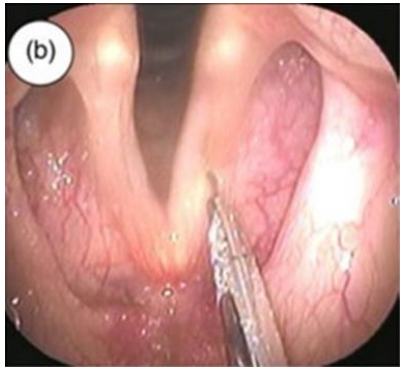
All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

声帯瘢痕 第Ⅰ/Ⅱ相試験の結果

終了

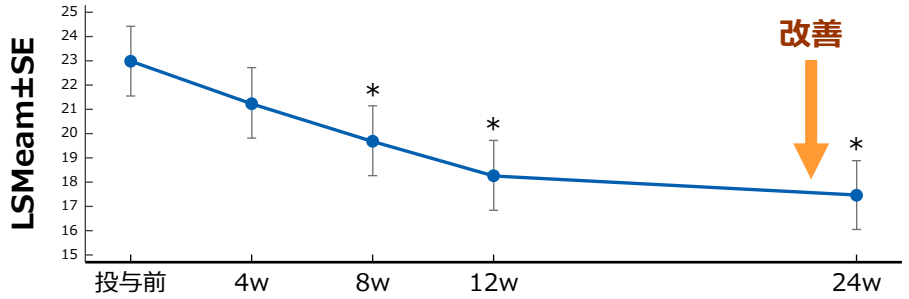
第Ⅰ/Ⅱ相試験 **安全性を確認し、有効性評価指標を探索する試験**

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歳以下の声帯瘢痕患者
用法用量	1μg、3μg、10μg/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 ⇒ 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 ⇒ 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

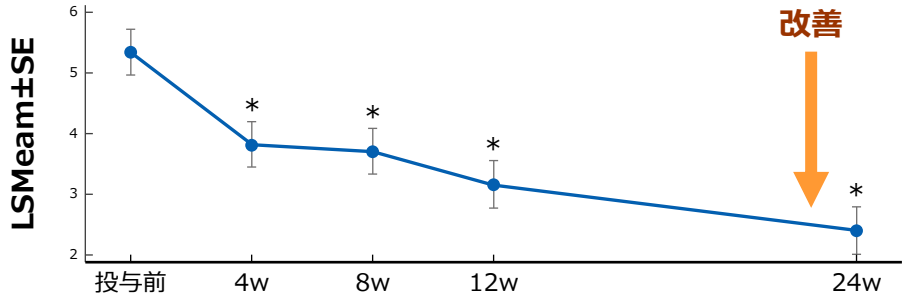


投与方法：
喉頭注射針 (a) を用いて
声帯局所に注射する (b)

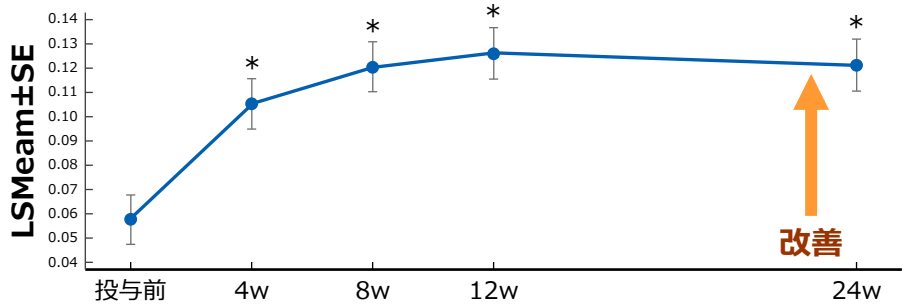
VHI-10 (被験者による主観的評価) *P<0.05



GRBAS (第三者による聴覚的評価) *P<0.05



Vocal fold vibratory amplitude
(声帯の振動振幅の物理的な機能評価) *P<0.05



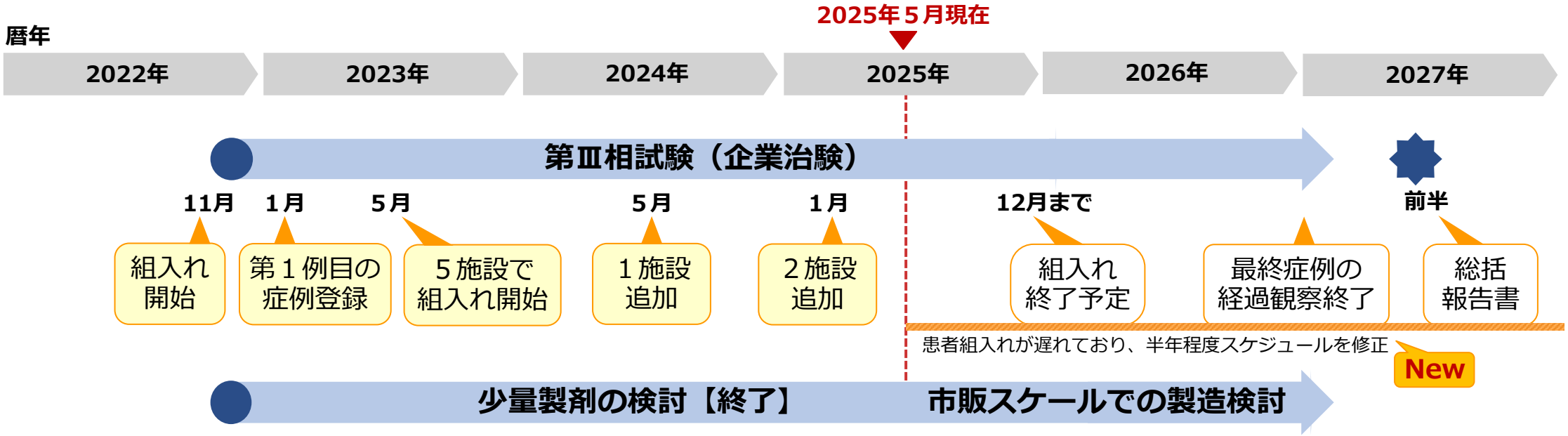
Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

声帯瘢痕　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：　声帯瘢痕（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：　８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、藤田医科大学病院、福岡山王病院、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。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

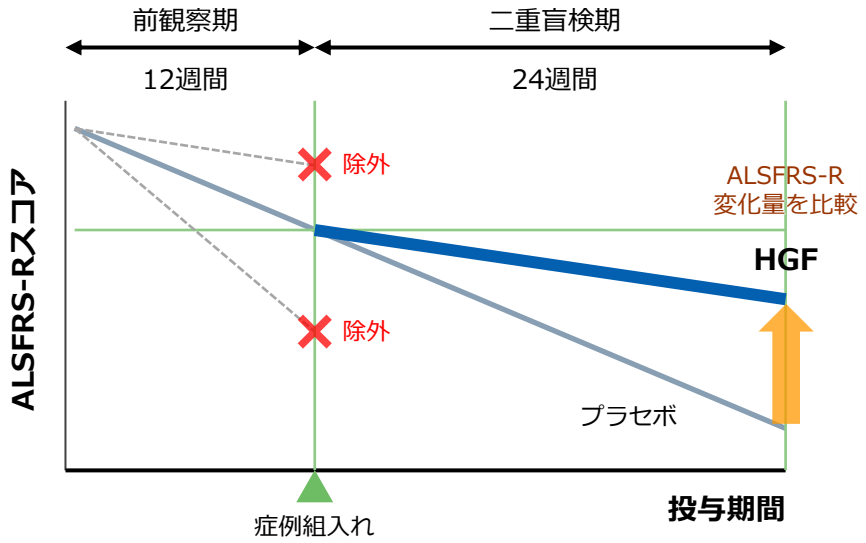
ALS　第Ⅱ相試験（医師主導治験）

追加解析
実施中

Kringle Pharma

- 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

主要評価項目のイメージ図



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

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（共同研究を2025年９月まで半年延長）

New

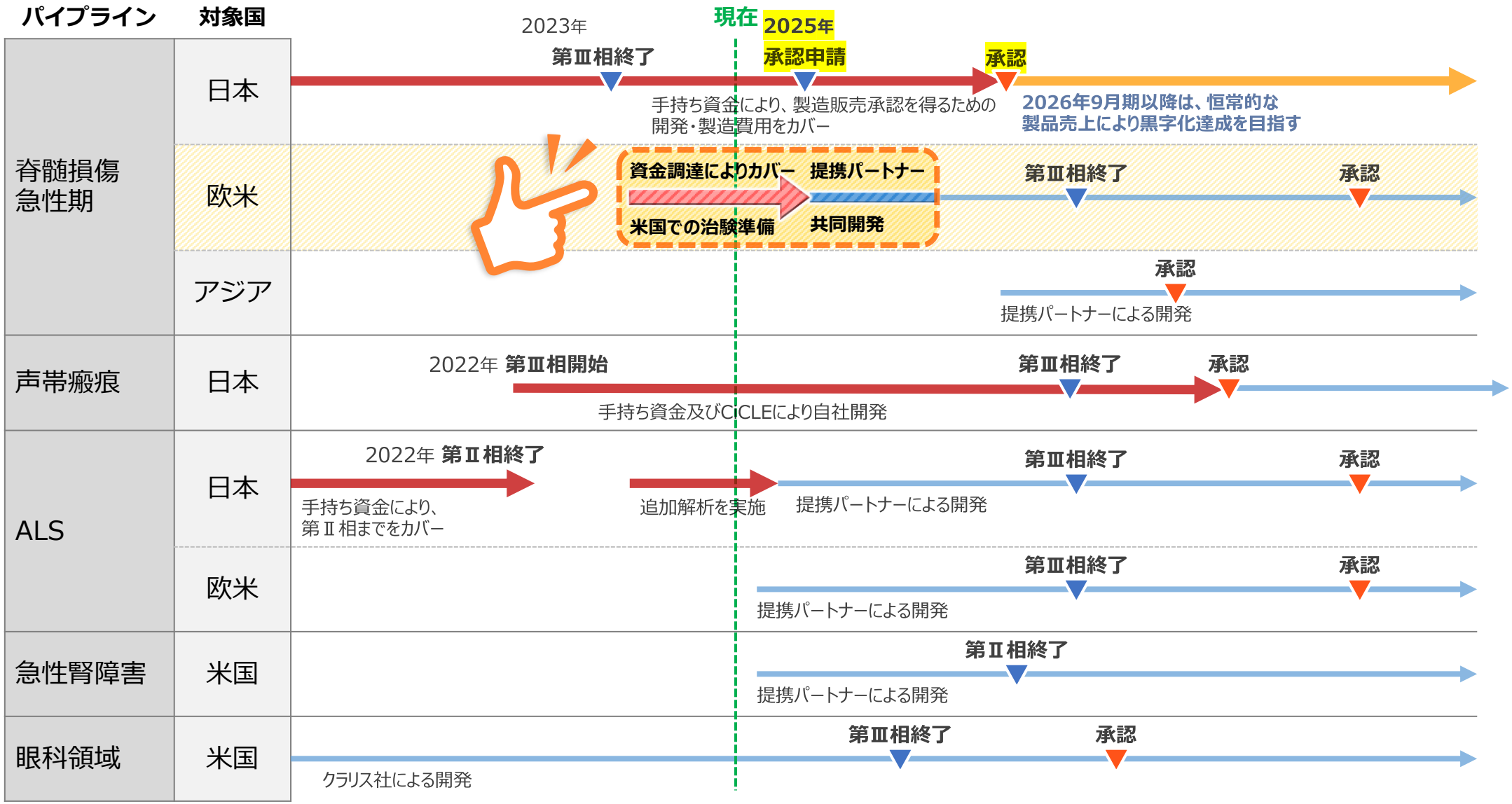
＊ ALS患者の日常生活活動を見るもので、12項目の動作について各々０～４の５段階で点数化する。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

成長戦略

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

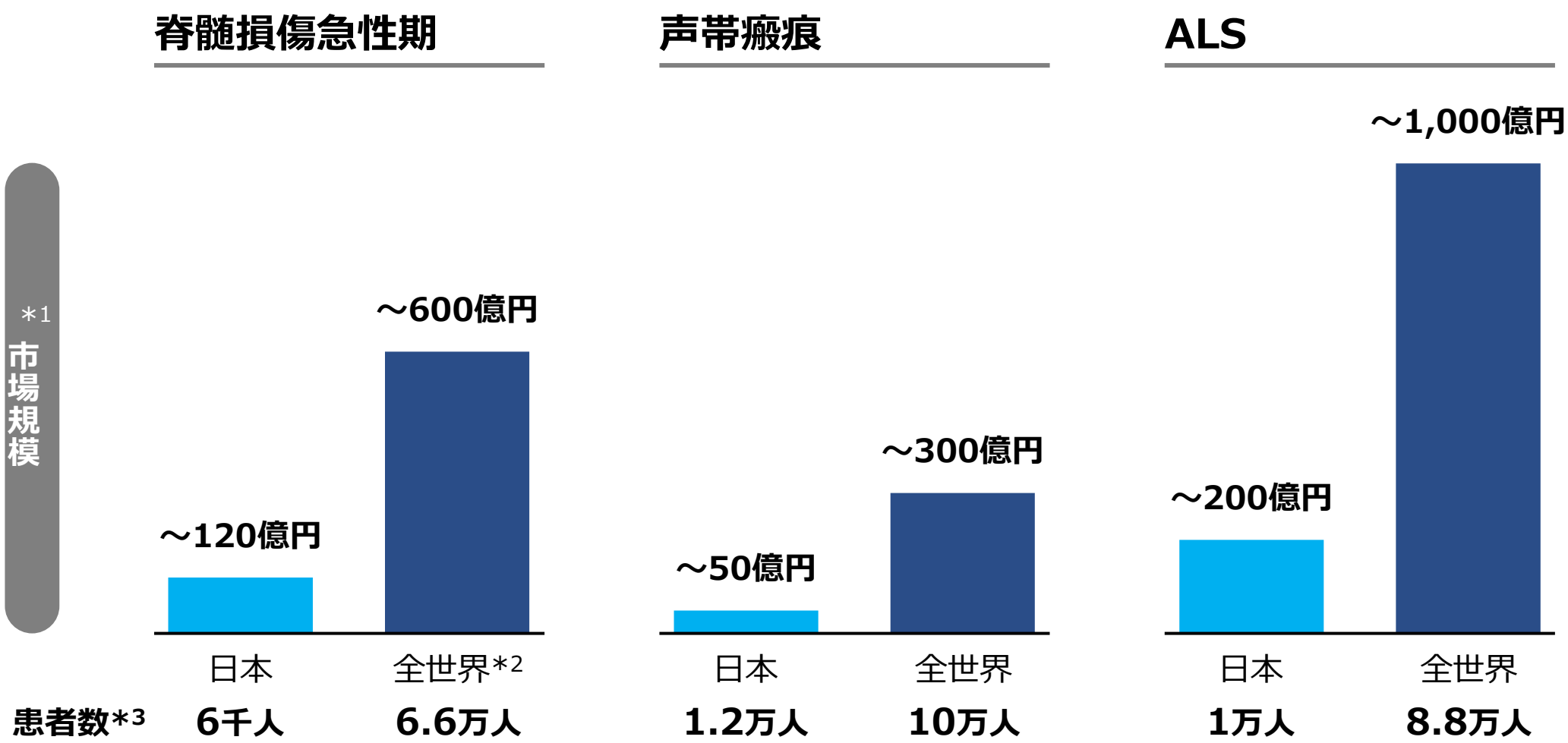
クリングルファーマの成長戦略*



* 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。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

患者数と市場規模



*1 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

*2 高度治療が可能な先進国

*3 出典：脊髄損傷急性期ー坂井宏旭ら「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、声帯瘢痕－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、ALS－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)

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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～

Kringle Pharma

終了

慶應義塾大学医学部生理学　岡野栄之教授、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
  ⇒２件の特許出願済み

新規

慶應義塾大学医学部整形外科学　名越慈人専任講師

- 脊髄損傷後の自然回復を予測する新たな急性期バイオマーカーの探索

金沢大学医薬保健研究域医学系呼吸器内科　矢野聖二教授、渡辺知志特任准教授

- HGFの特発性肺線維症への応用研究

岐阜大学医学部整形外科　秋山治彦教授、先端医療・臨床研究推進センター 浅田隆太准教授

- HGFの特発性大腿骨頭壊死症への応用研究

継続

東京科学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（腸上皮オルガノイドを作製する際にHGFを使用）

京都大学大学院医学研究科形成外科学　田畑泰彦特任教授

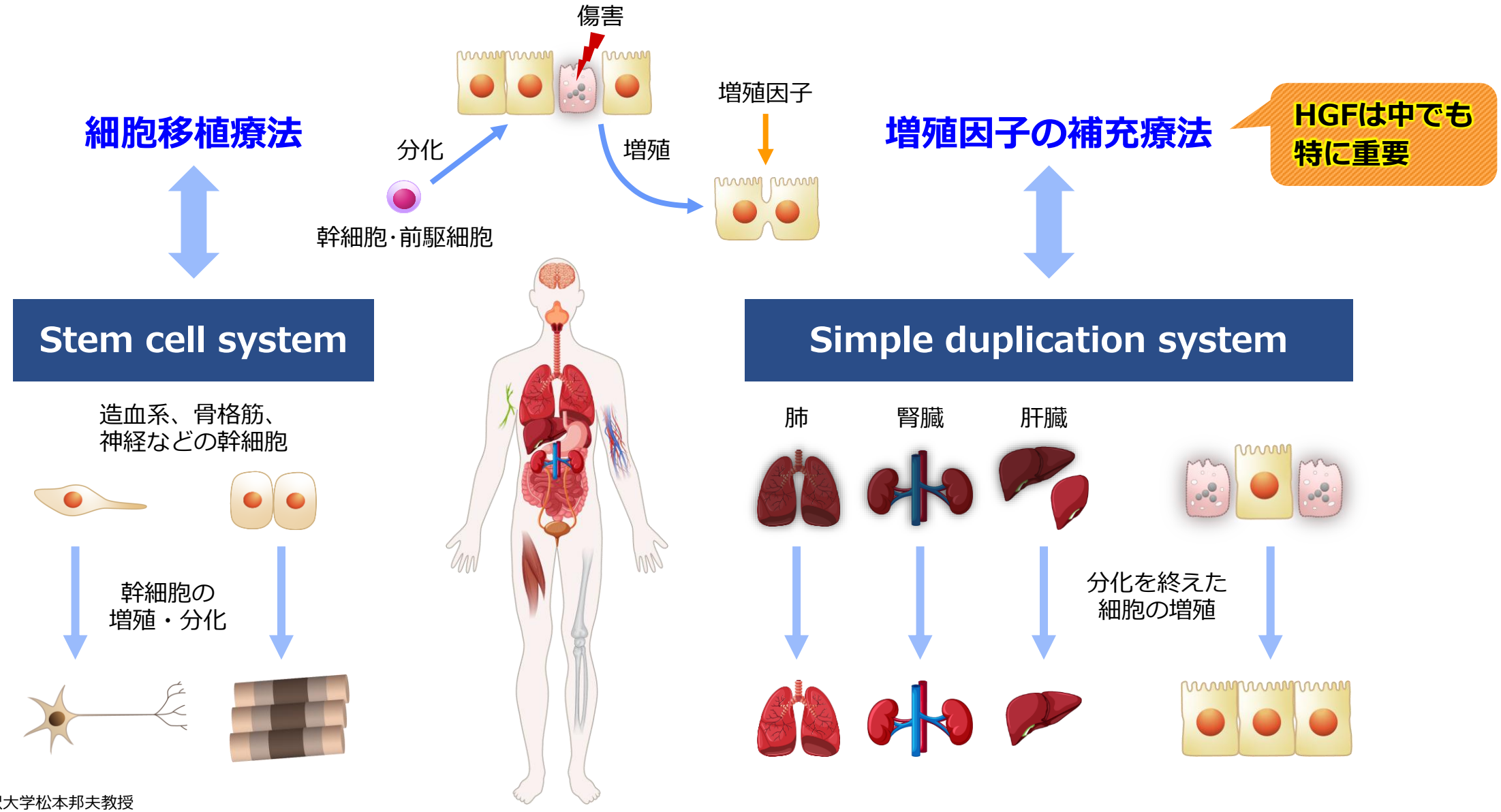
- 生物材料（バイオマテリアル）とHGFを組合せ、対象疾患に最適で効果的な次世代再生治療法の探索

金沢大学WPIナノ生命科学研究所　松本邦夫特任教授

- HGFの次世代製造方法に関する研究

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷急性期から慢性期への展開　－慶應義塾大学との共同研究成果－

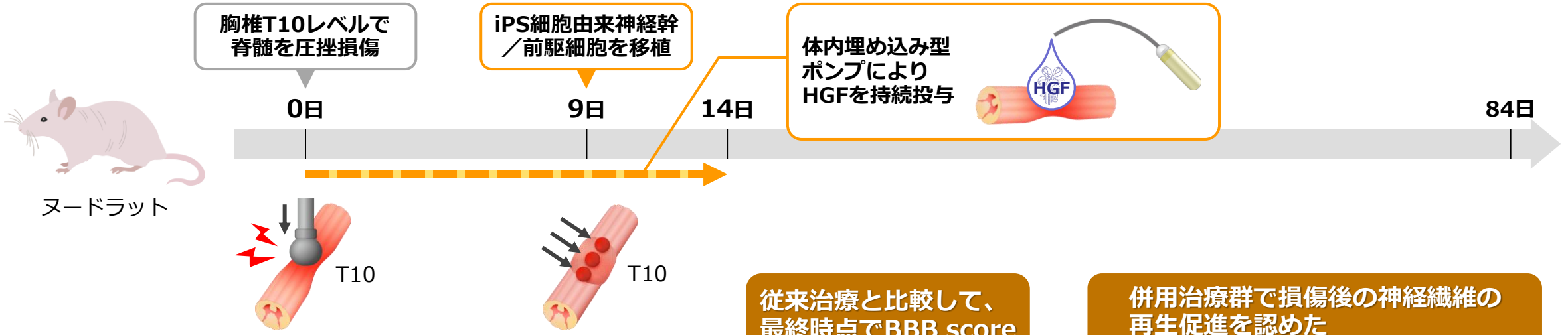
治療方法	HGF タンパク質 ＋ iPS細胞由来 神経幹/前駆細胞	併用 HGFタンパク質 スキャフォールド（足場基材） iPS細胞由来神経幹/前駆細胞
	2023年９月８日、優先権主張特許出願（出願番号：PCT/JP2023/32768）	2023年３月10日、優先権主張特許出願（出願番号：PCT/JP2023/9421）

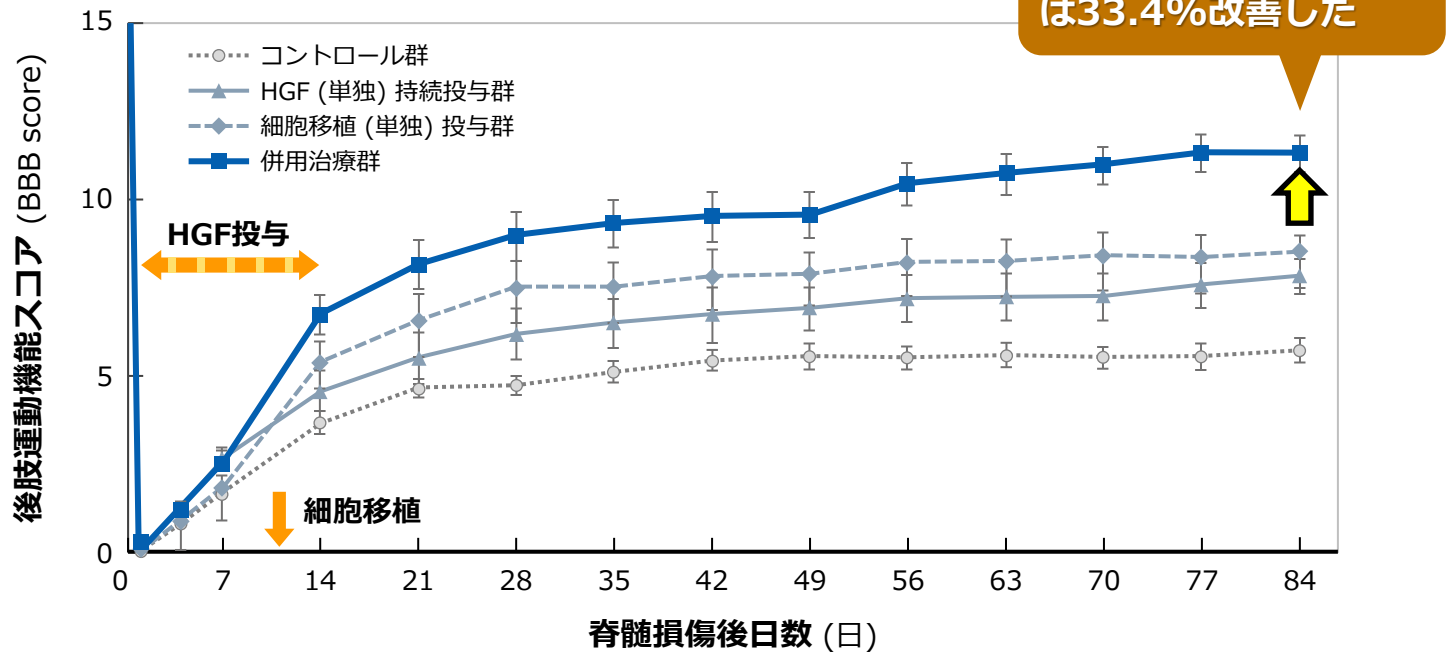
患者数				
	日 本	5千人/年間[1)2)]	市場性	10～20万人[1)2)]
	全世界[3)]	6万人/年間[4)]		110万人[5)]

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

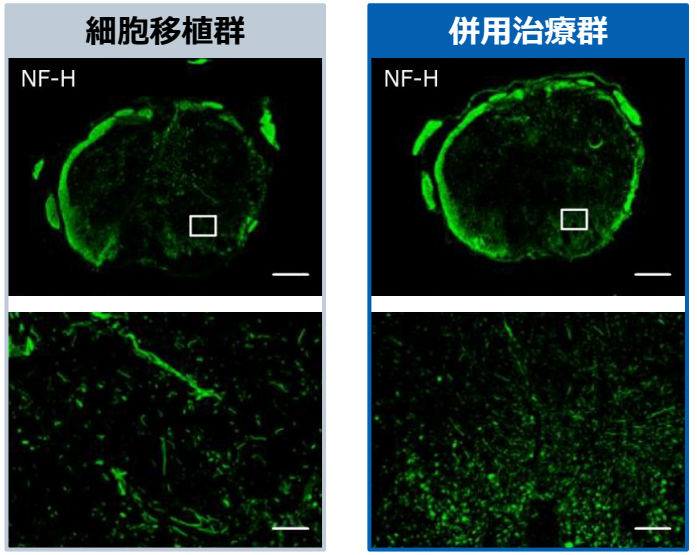
All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷急性期のHGF投与と亜急性期の細胞移植の併用効果





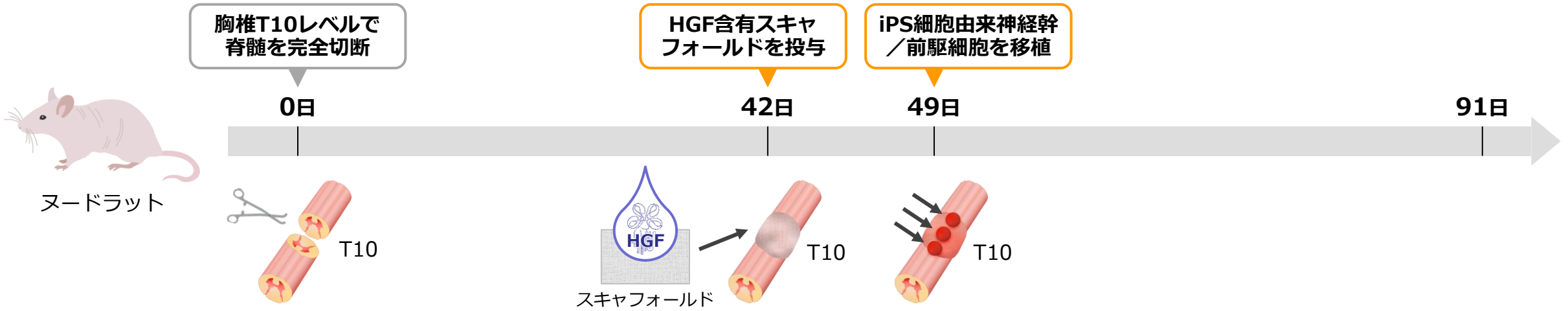
併用治療群で損傷後の神経繊維の再生促進を認めた

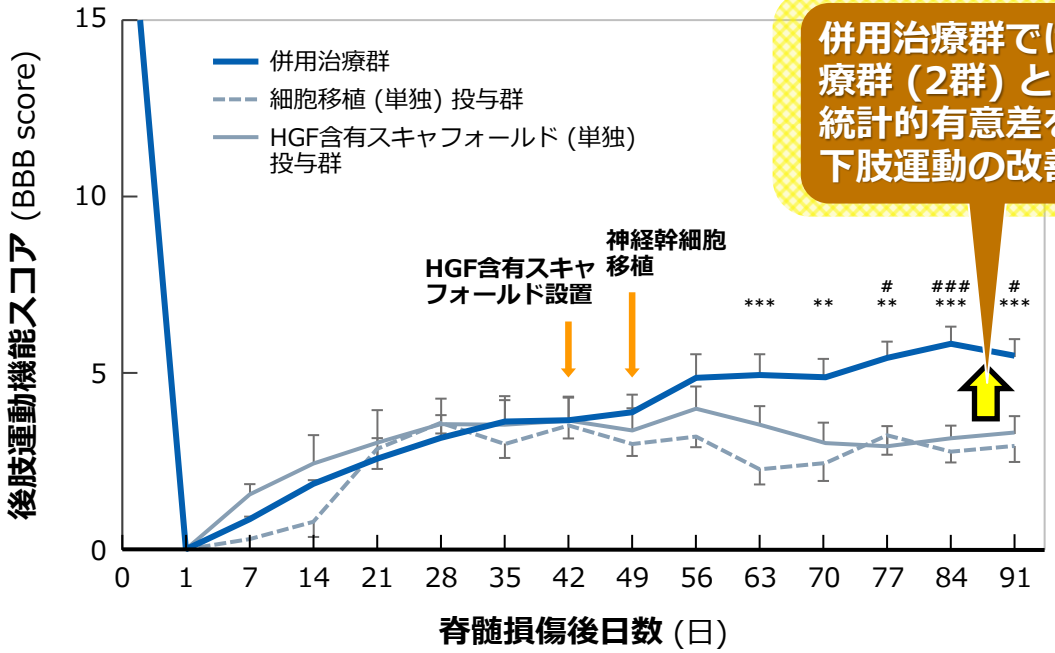


Suematsu et al, Inflamation and Regeneration, (2023) 43:50.

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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

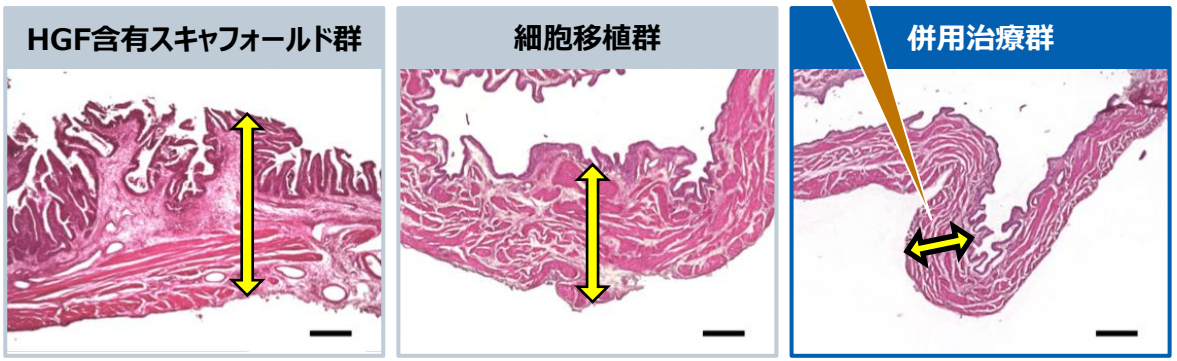




併用治療群では、単独治療群（2群）と比較して、統計的有意差を持って下肢運動の改善を認めた

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

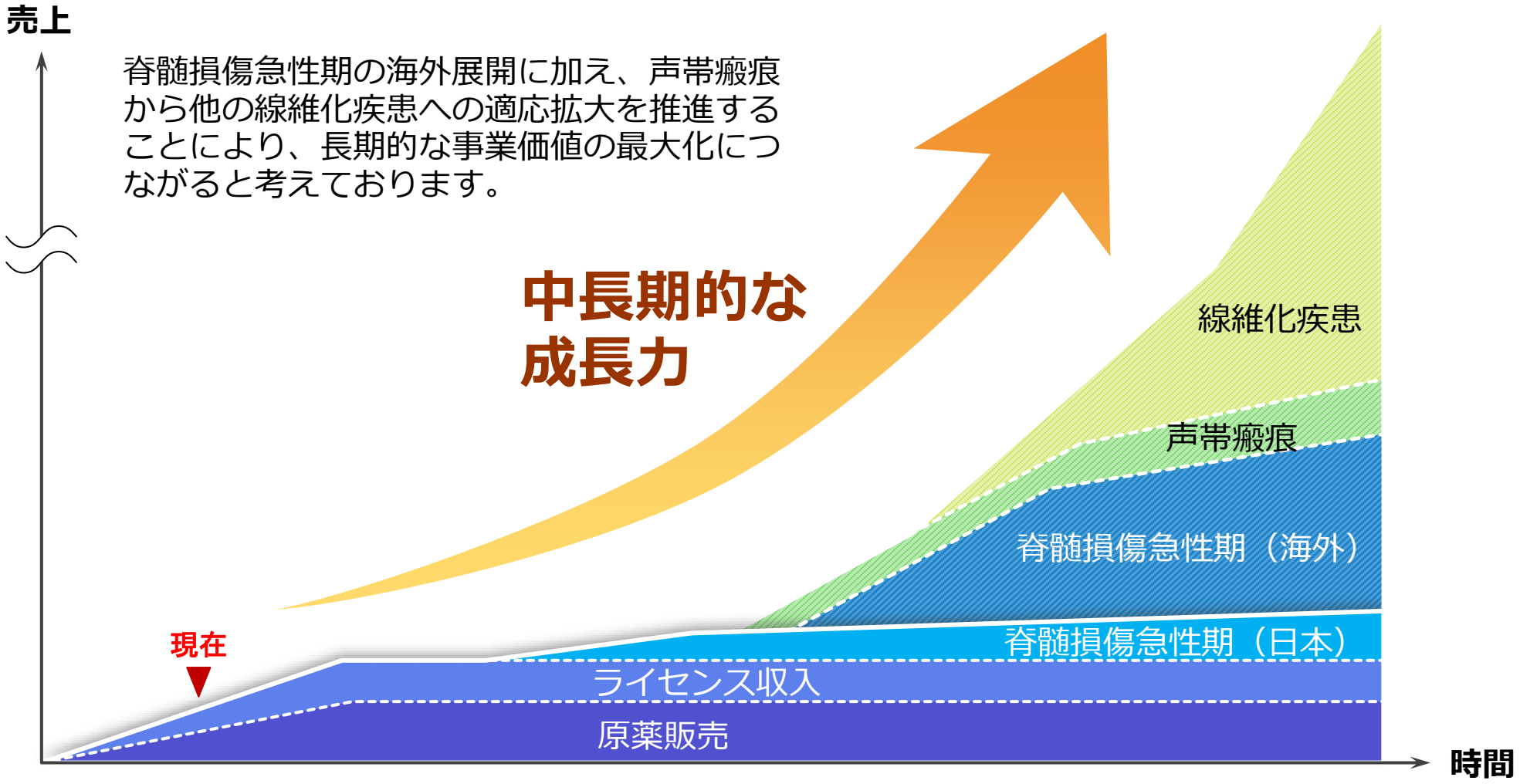


Hashimoto et al, Biomaterials, 295 (2023) 122002.

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

収益イメージ図*

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。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

2025年９月期第２四半期決算概況

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

2025年９月期第２四半期　経営成績の概況

損益計算書の概要　前年対比

（単位：百万円）

	2024年９月期 第２四半期	2025年９月期 第２四半期	2025年９月期第２四半期 内 容	2025年９月期 通期業績予想
売上	43	35	● クラリス社からの技術アクセスフィー	272*
売上原価	―	―		63
販売管理費	409	547		1,587
研究開発費	293	404	● 脊髄損傷の承認申請準備費用、米国開発に関する準備費用 ● 声帯瘢痕の治験費用	1,223
営業損失	△366	△511		△1,379
営業外収益	1	0		―
営業外費用	―	0		―
経常損失	△365	△511		△1,379
法人税等	0	0		1
四半期純損失	△366	△512		△1,380

* 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が、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。

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

2025年９月期第２四半期　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）

	2024年９月期 期末	2025年９月期 第２四半期末	増 減	主な増減理由
流動資産	2,755	2,265	△490	● 現預金の減少
現預金	2,313	1,886	△427	● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	1	24	23	
資産合計	2,757	2,290	△467	
流動負債	128	155	27	
固定負債	520	525	4	
負債合計	648	681	32	
純資産合計	2,108	1,608	△499	● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,757	2,290	△467	
自己資本比率	75.8%	69.2%		

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

2025年９月期第２四半期　キャッシュ・フローの状況

キャッシュ・フロー計算書の概要　前年対比

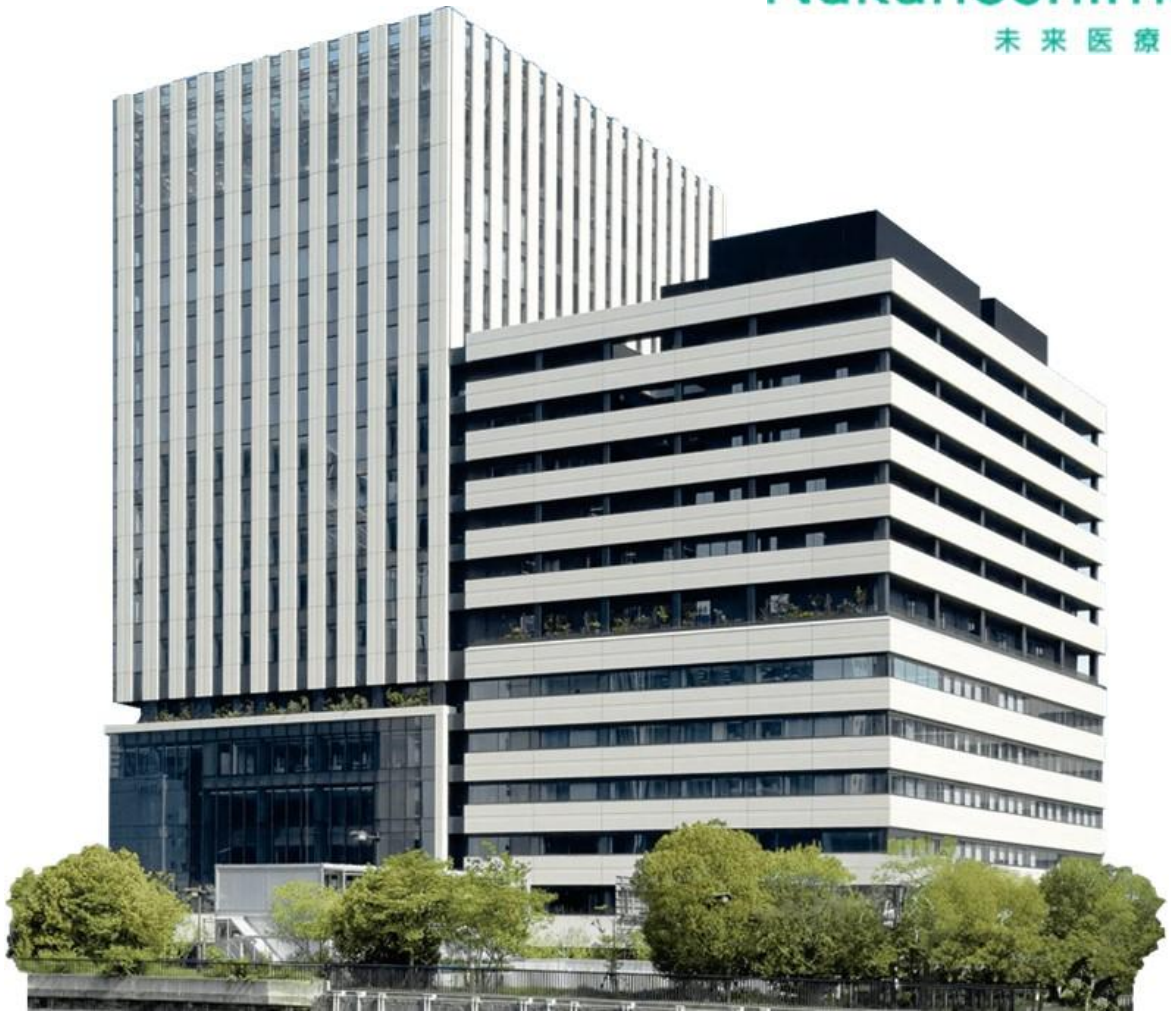
（単位：百万円）

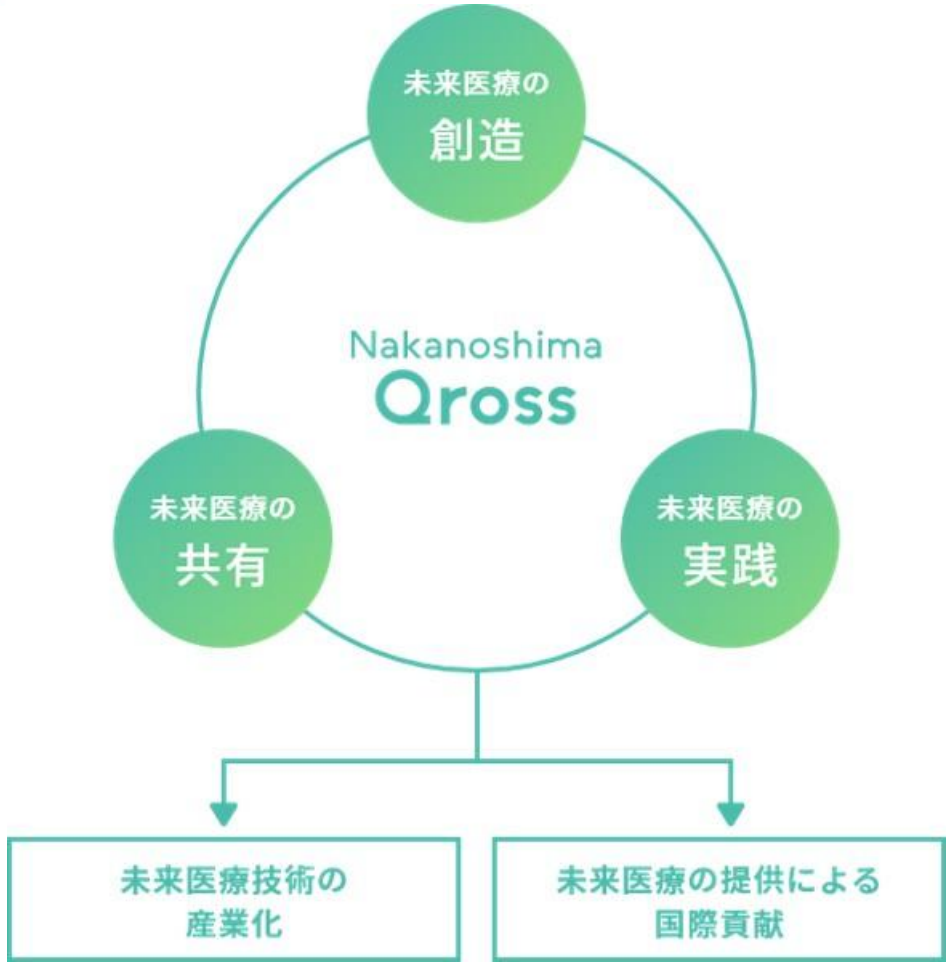
	2024年９月期 第２四半期	2025年９月期 第２四半期	2025年９月期第２四半期 内 容
営業活動による キャッシュ・フロー	△315	△404	● 未払金の増加額72 ● 税引前四半期純損失△511
投資活動による キャッシュ・フロー	△121	△155	● 定期預金の預入△131
財務活動による キャッシュ・フロー	668	1	● 新株予約権の行使による 株式の発行による収入1
現金及び現金同等物の増減額	231	△558	
現金及び現金同等物の期首残高	1,761	1,816	
現金及び現金同等物の四半期末残高	1,993	1,258	

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

Nakanoshima Qross オフィスの開設

Nakanoshima Qross
未来医療国際拠点





＊ 出典：https://www.nakanoshima-qross.jp/

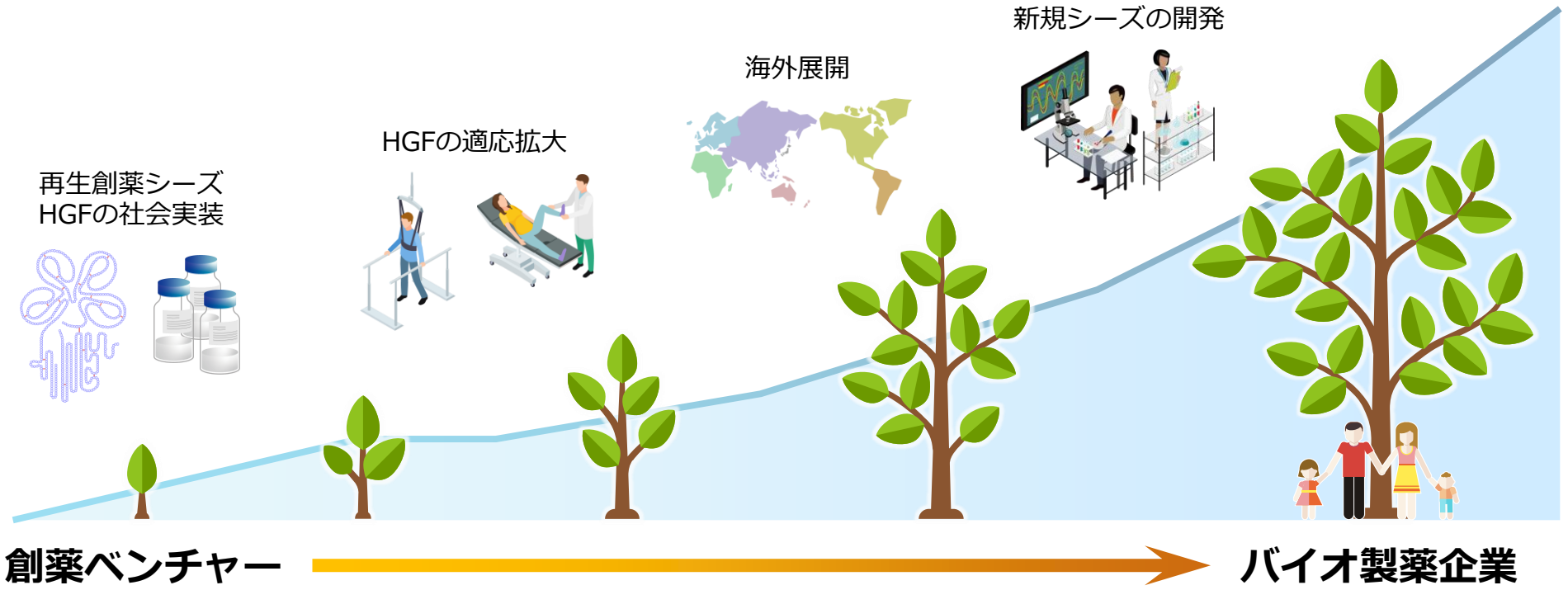
All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

クリングルファーマのビジョン

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**



All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

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。

申し訳ございませんが、本日は時間が限られておりますので、頂きましたご質問に回答できない場合は、後日、改めてご連絡させて頂きます。

別途、ご不明な点やご質問等がございましたら、ご遠慮なく下記までお問い合わせをお願いいたします。

今後ともご支援ご鞭撻のほどよろしくお願い申し上げます。

IR担当　kpinfo@kringle-pharma.com

Appendix

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

マネジメントチーム

バイオベンチャーの経営を熟知した経験豊富な人材

代表取締役社長　安達 喜一

Paradigm Genetics, Inc.、㈱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

㈱リクルート、㈱フレックス、㈱アドバンスクリエイト、㈱エトヴォス、NHSインシュアランスグループ㈱、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㈱、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㈱、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㈱、中外製薬㈱、三菱UFJキャピタル㈱、アニコムキャピタル㈱、㈱友保総合研究所代表取締役社長 (現任)、㈱キノファーマ取締役 (現任)、㈱GenAhead Bio 社外取締役 (現任) 、ファーマバイオ㈱社外取締役 (現任)、㈱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㈱、日本オルガノン㈱、カルナバイオサイエンス㈱代表取締役社長 (現任)、㈱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㈱（現 ゼノジェンファーマ㈱）、日本全薬工業㈱取締役（現任）、ゼノジェンファーマ㈱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　土井 直巳

科研製薬㈱にて研開業務管理センター長、信頼性保証部長、常勤監査役を歴任、経営顧問（現任）、セルアクシア㈱社外監査役（現任）、2024年12月より当社社外監査役 (現任)

監査役　本川 雅啓

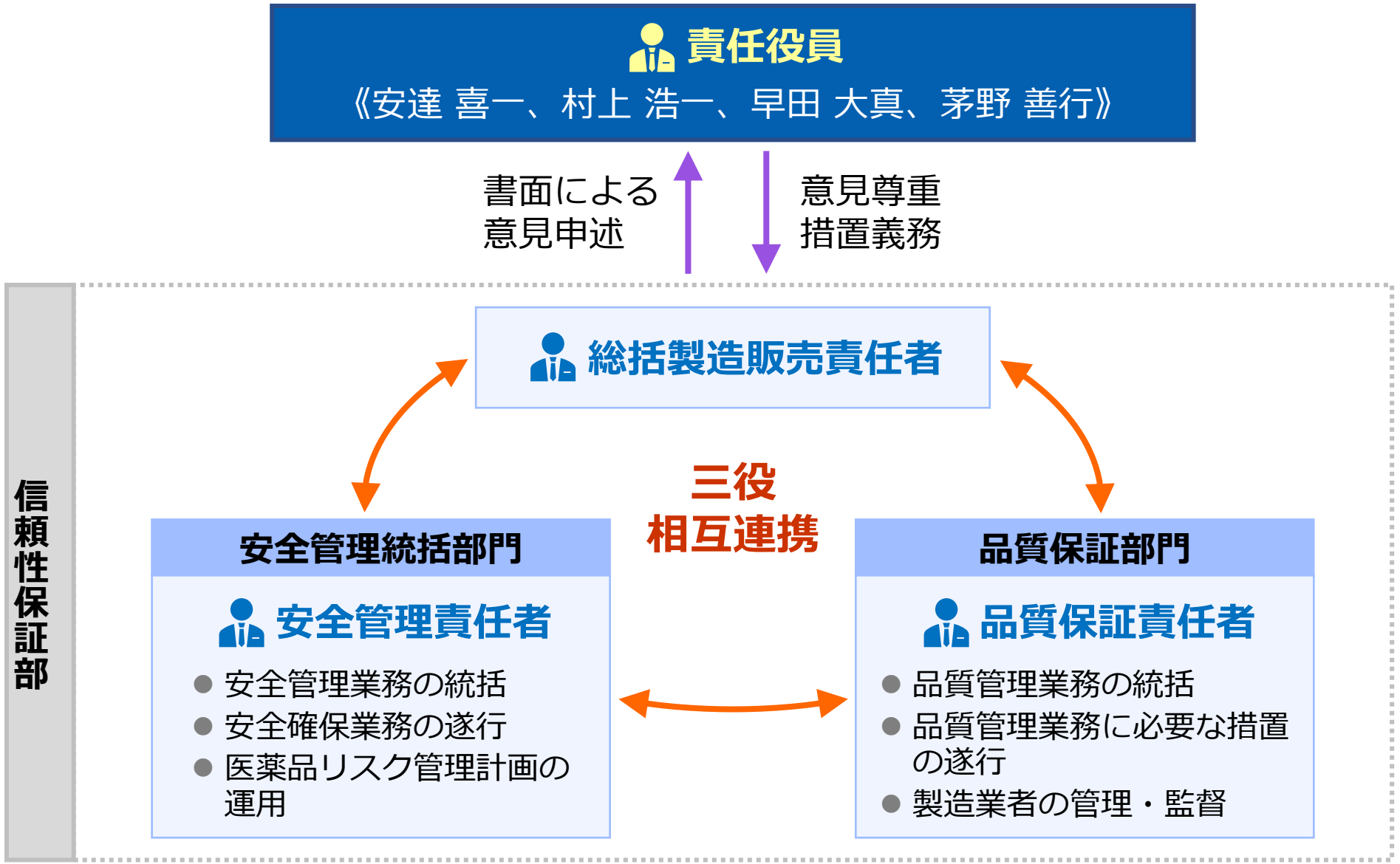
ベリングポイント㈱、あずさ監査法人、D&A総合会計事務所所長 (現任)、新月有限責任監査法人代表社員 (現任)、ドクターズモバイル㈱社外監査役 (現任)、リバスキュラーバイオ㈱社外監査役 (現任)、 2018年12月より当社社外監査役 (現任)

監査役　山口 要介

北浜法律事務所、㈱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㈱社外監査役 (現任) 、㈱フィットクルー社外監査役 (現任) 、㈱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)

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

医薬品製造販売業の法令遵守体制



All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

脊髄損傷の主な競合品（第Ⅱ相以上）

2025年４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 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/Novago	第Ⅱb相 終了 第Ⅰb相	欧州	NG-101 /NG004	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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

声帯瘢痕の主な競合品（第Ⅰ相以上）

2025年４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：声帯瘢痕（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：声帯瘢痕 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：声帯瘢痕 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：声帯瘢痕 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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.

ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

2025年４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/ｽｲｽ承認、USオーファン指定
エーザイ/徳島大学	承認	日本	メコバラミン	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)
Biogen	(迅速)承認 承認 承認	US 欧州 日本	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。正式承認は実施中のPhase3結果次第。欧州承認(2024年６月)、日本承認(2025年１月)
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
Ionis Pharmaceuticals /大塚製薬	第Ⅲ相	Global	ION363 (Ulefnersen)	FUS遺伝子のアンチセンス遺伝子治療	対象疾患：FUS変異によるALS 投与方法：脊髄腔内投与 2024年11月 大塚製薬とのライセンス契約締結
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

All rights reserved by Kringle Pharma, Inc., 2025.