



脊髄損傷急性期第Ⅲ相試験のトップラインデータ 及び2024年9月期第1四半期決算について

2024年2月9日

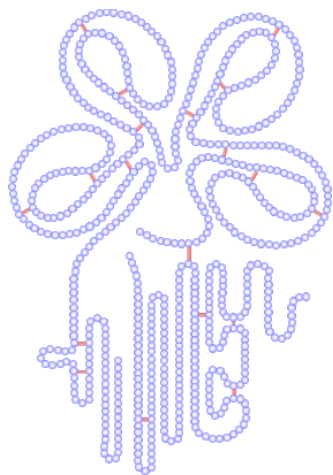
クリングルファーマ株式会社
(東証グロース：4884)

- 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。

- **会社概要**
 - 当社の特徴
 - 開発パイプラインの概要
 - 成長戦略
- **脊髄損傷急性期第Ⅲ相試験のトップラインデータ**
 - HGFの作用機序
 - 第Ⅰ / Ⅱ相試験の結果
 - 第Ⅲ相試験のトップラインデータ
- **2024年9月期第1四半期決算概況**
 - 2024年9月期第1四半期のトピックス
 - 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	354百万円 (2023年12月末時点)
役員数	取締役7名、監査役 3名
従業員数	13名 (2023年12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

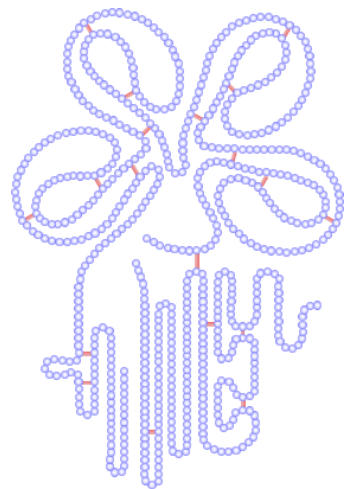


HGF再生治療薬の プラットフォーム

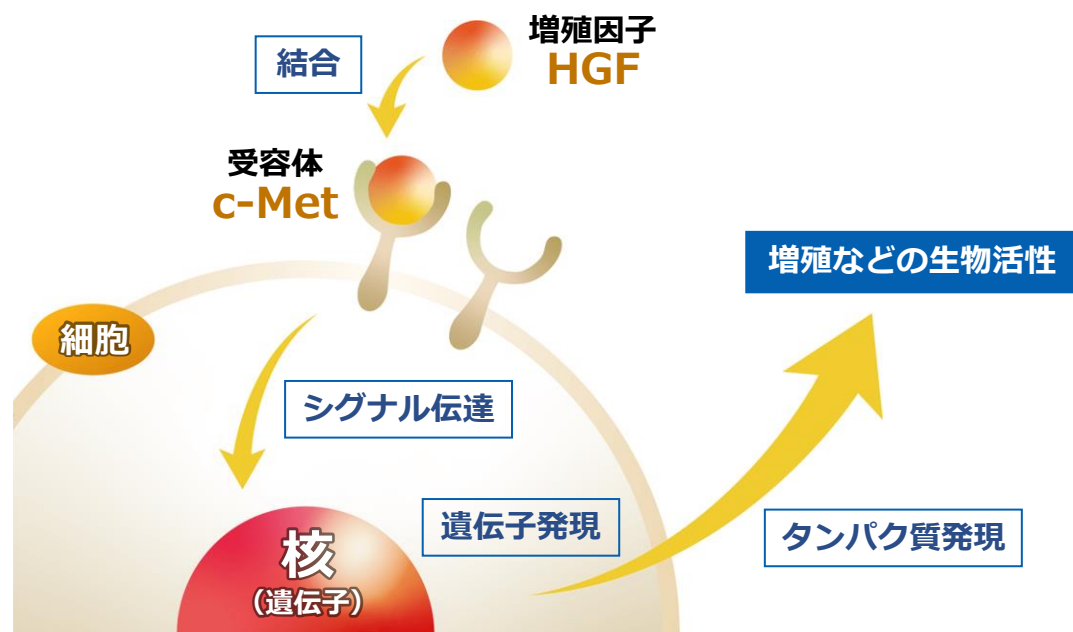
- 組換えHGFタンパク質：ファースト・イン・クラスの開発シーズ
- 医薬品としての製造・量産体制を確立
- 多くの疾患への適応拡大による成長可能性
 - 米国クラリス社への原薬供給により、同社は神経栄養性角膜炎を対象に第Ⅰ/Ⅱ相試験実施中
 - 脊髄損傷急性期から慢性期への拡大
 - 声帯癒痕から他の線維化疾患への拡大

* 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～



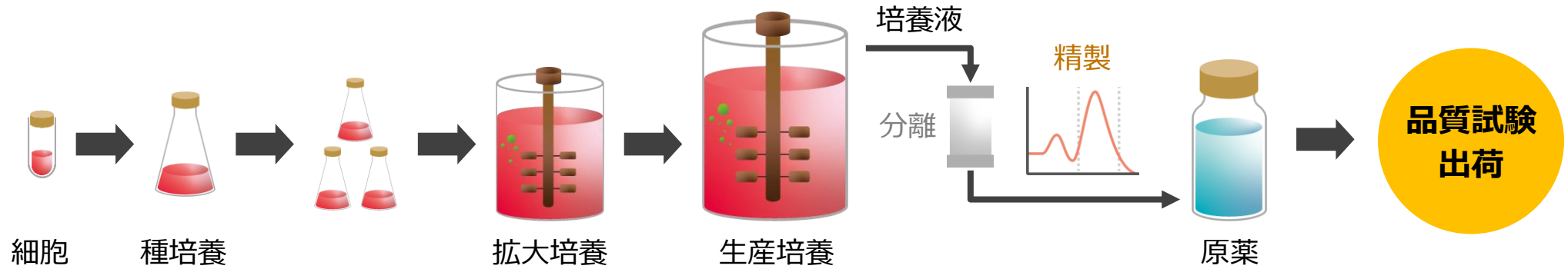
- 日本で発見された、からだの中に存在するタンパク質
- 692個のアミノ酸がつながる比較的大きな構造
- 複雑な構造（クリングル構造と言う：社名の由来）、19個の分子内架橋
- マルチな生物学的機能
- 組織・臓器を「保護」、「再生」、「修復」



HGF再生治療薬のプラットフォーム：HGFタンパク質の量産体制

原薬製造

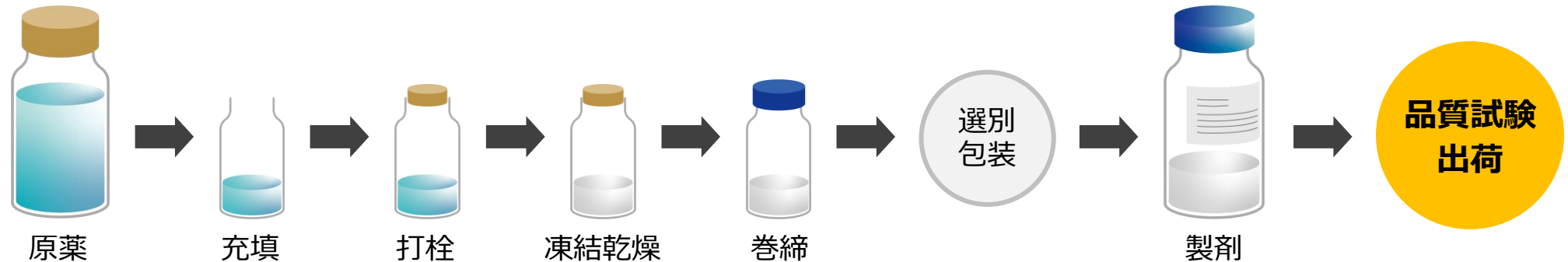
- 細胞を安定的に増殖させ、HGFを高発現させる培養工程
- 不純物を取り除き、HGFの純度を高める精製工程



脊髄損傷での承認申請に必要とされる実製造と同様のプロセスで行う試験製造(プロセスバリデーション)終了

製剤製造

- HGFを長期間安定化させる製剤組成
- 用途に応じた複数の製剤組成の特許を取得



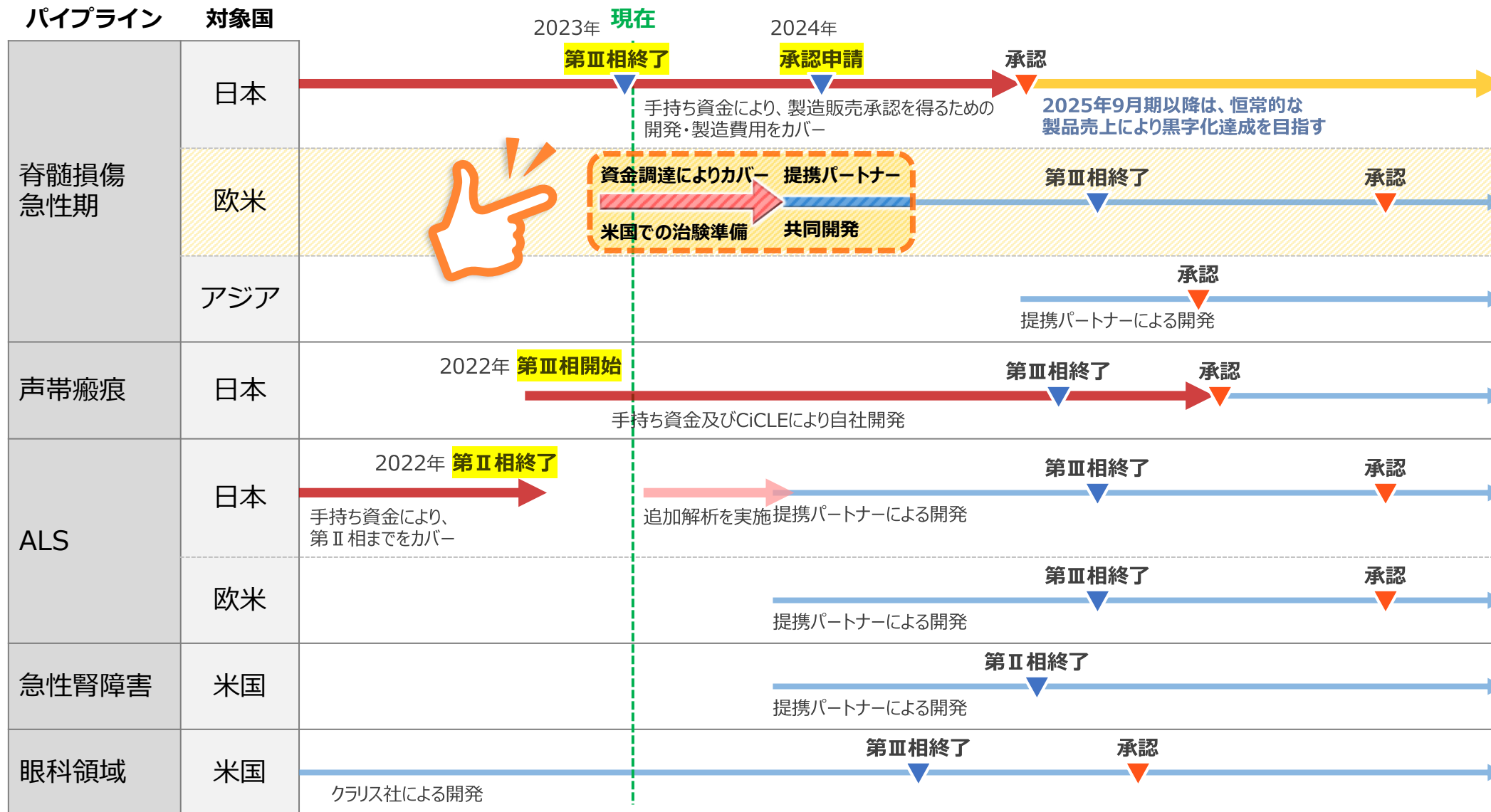
開発パイプラインの概要

- 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、声帯癬痕及び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相試験実施中	終了		終了	2024年2月 トップラインデータ	
2	声帯癬痕	第Ⅰ/Ⅱ相試験(オープンラベル用量漸増試験)終了(医師主導治験)、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	2023年1月 FPI*	
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)実施中、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	
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。

	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	6,000人	66,000人	ステミラック、 細胞治療など ※HGFと併用可能と推定	国内： ~120億円 海外： ~600億円
	ALS	10,000人	88,000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

今後の成長戦略を加速させるために資金調達を実施しています

資金調達により加速

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」

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



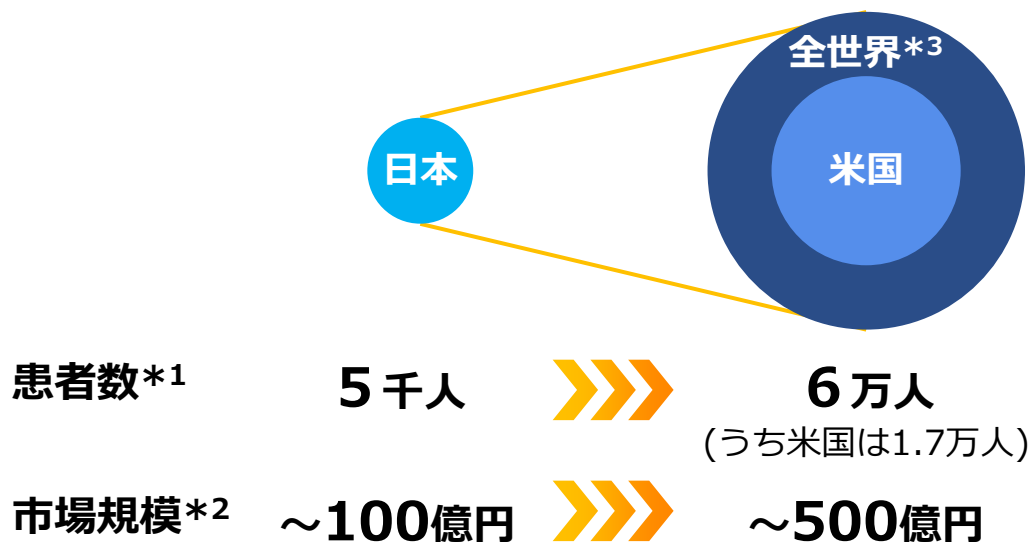
* AMEDによる医療研究開発革新基盤創成事業。当社の研究開発課題「組換えHGFタンパク質を用いた難治性線維症治療薬の開発」は第6回公募に採択されている。

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（資金使途①）

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

2023年11月、米国FDAよりpre-INDミーティングにかかる回答受領

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

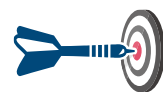
海外市場開拓：HGFタンパク質の全世界での安定供給に向けて（資金使途①）

- 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

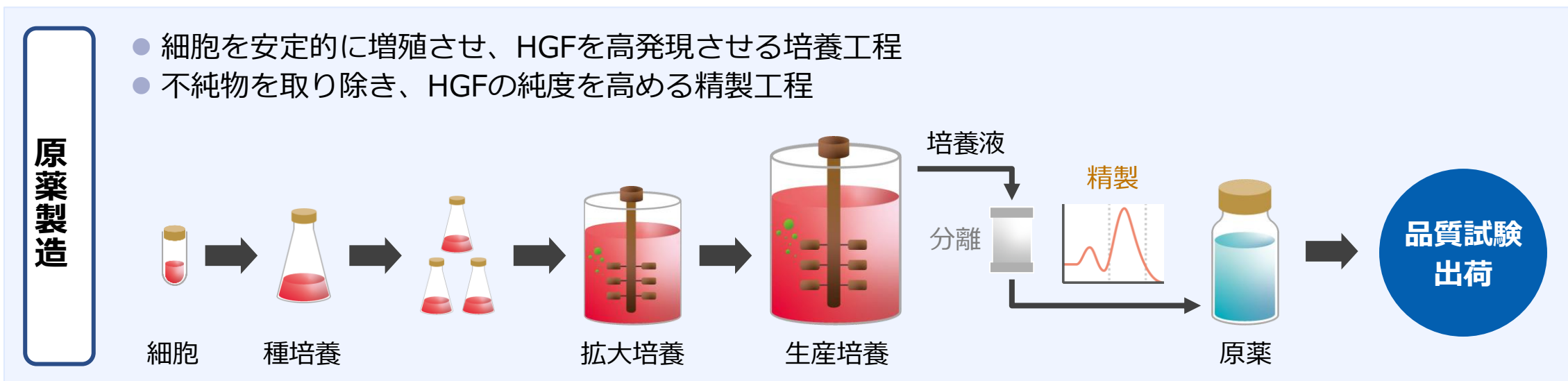
今後の適応拡大、
海外市場開拓



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



HGF高発現株
の作製

培養工程及び精製工程の効率化

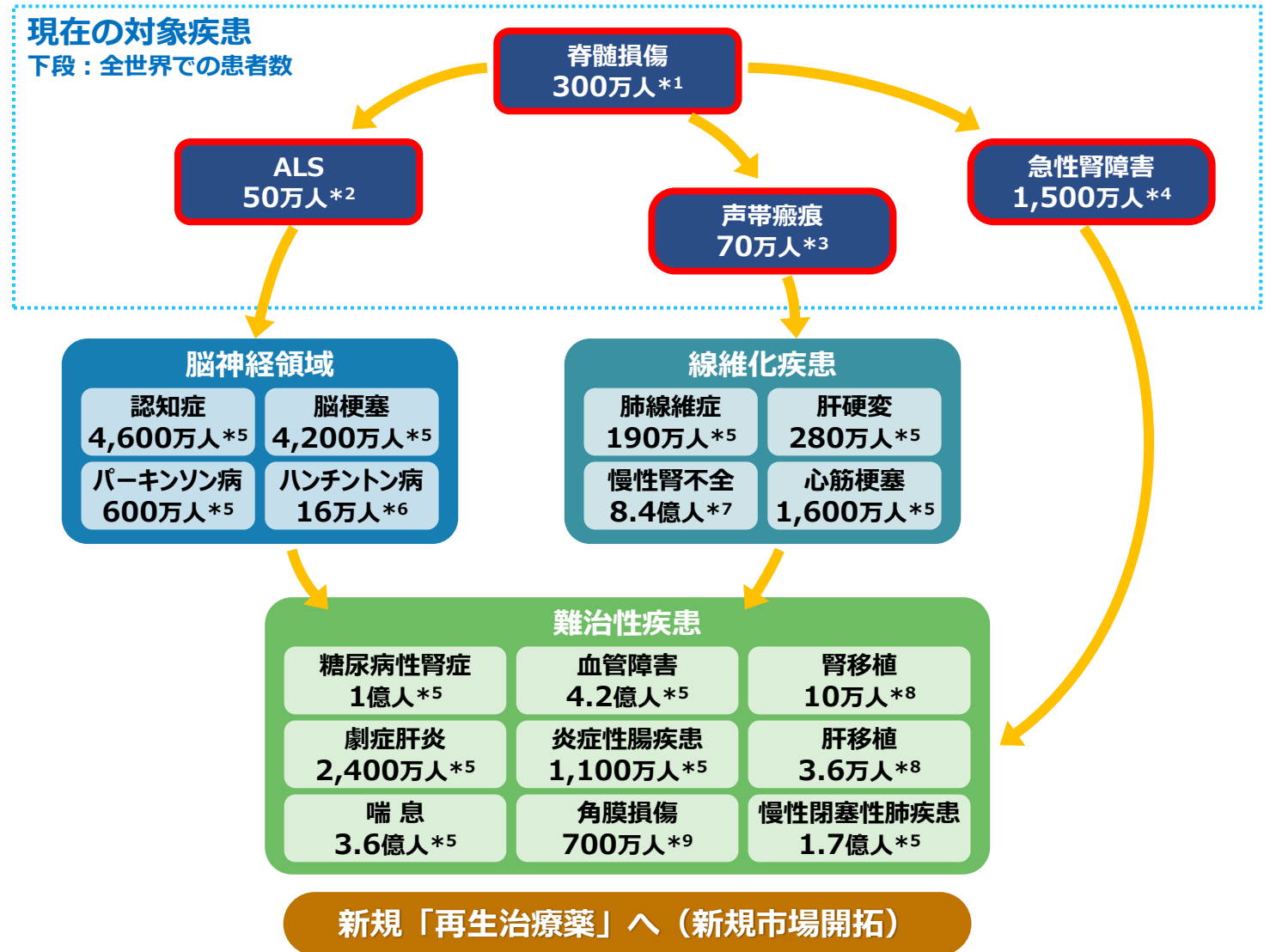
適応拡大：新規パイプラインの創製（資金使途②）



非臨床段階から 臨床初期段階の 新規パイプライン の創製



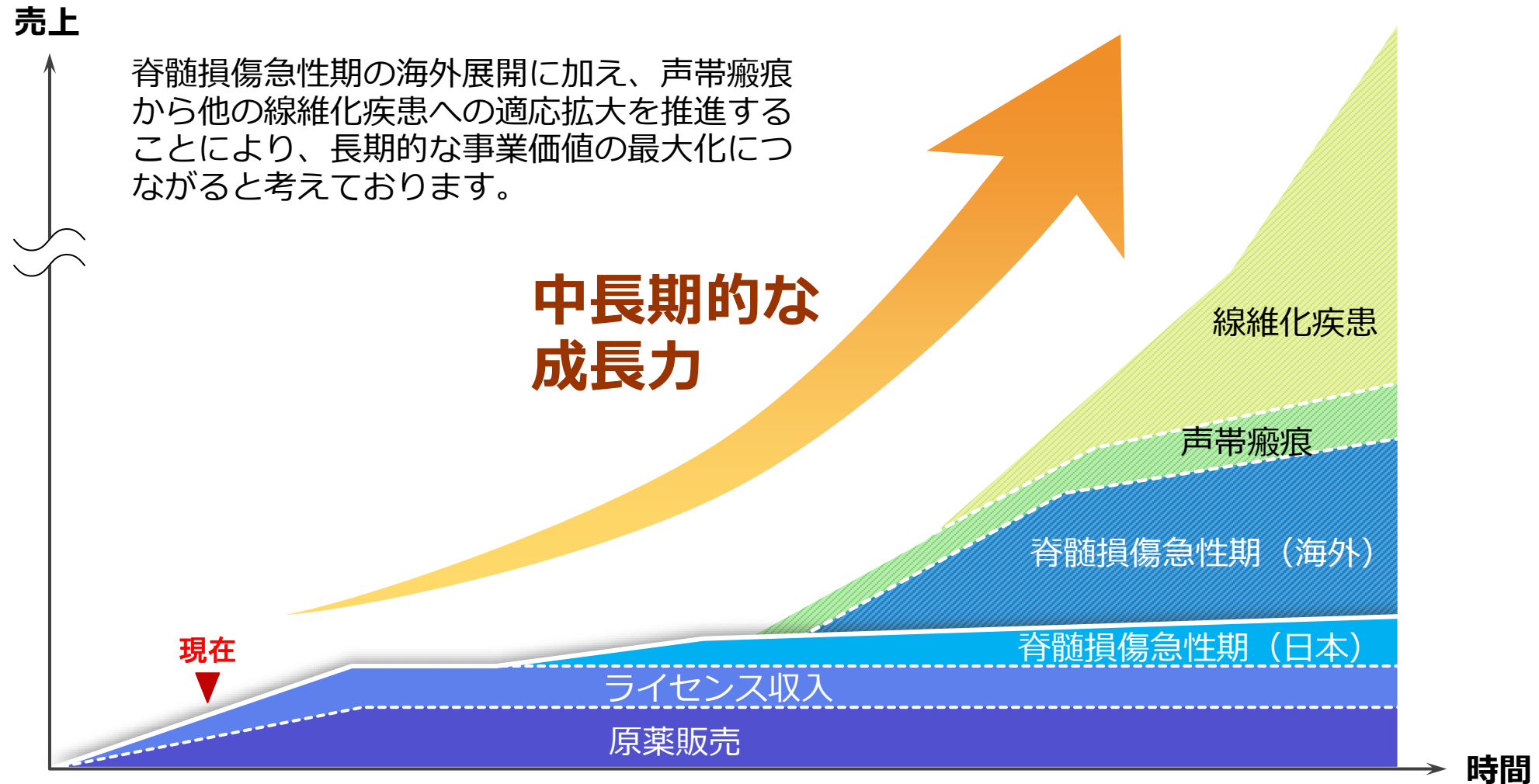
- 脊髄損傷急性期から慢性期への適応拡大
- 声帯癒痕から他の線維化疾患への適応拡大
- その他の難治性疾患への適応拡大



<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)

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。

脊髄損傷急性期第Ⅲ相試験 トツプラインデータ

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 (先進国)
- 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**
 - ステミラック注 (ヒト (自己) 骨髄由来間葉系幹細胞) 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)



開発の経緯

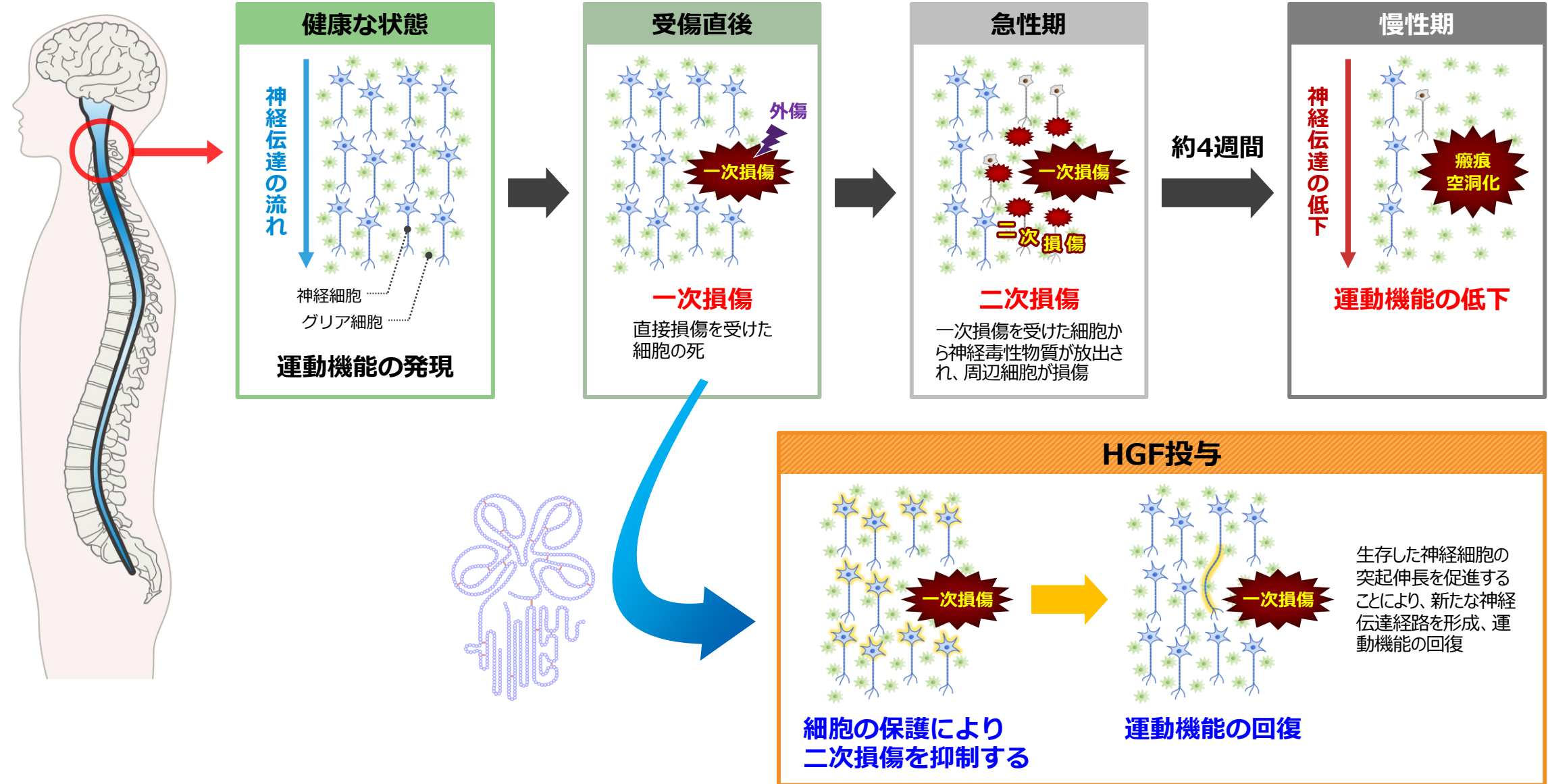
- 慶應義塾大学・大阪大学との共同研究により脊髄損傷モデル動物での薬効を確認
- 「脊髄損傷治療薬剤」特許を慶應義塾大学・大阪大学と共同出願、各国で権利化
- 以下の公的資金を活用し、脊髄損傷急性期に対する第 I / II 相試験及び第 III 相試験を終了

公的資金による支援

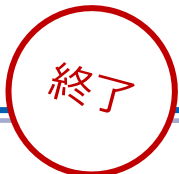
- 科学技術振興機構「A-STEP 創薬開発」(2011～2014年度)
- 日本医療研究開発機構 (AMED) 医療分野研究成果展開事業 (2015～2016年度)
- AMED 希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業 (2016～2018年度)
- 医薬基盤・健康・栄養研究所 希少疾病用医薬品試験研究助成金 (2019年度～)

* 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



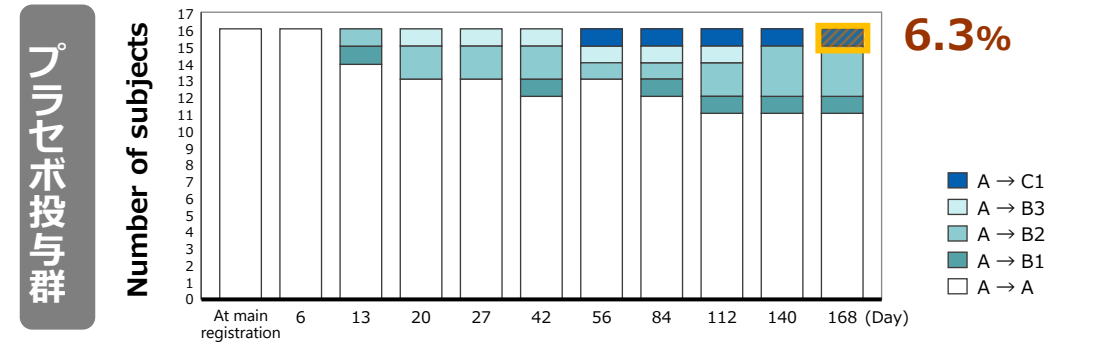
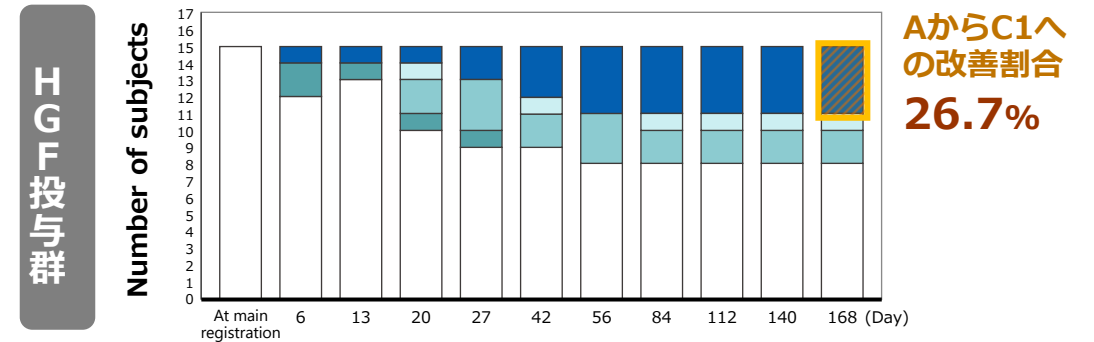
プラセボ対照二重盲検比較試験 (薬剤の有効性を確認するための最も厳格な試験方法)

HGF投与群：28症例 / プラセボ投与群：17症例

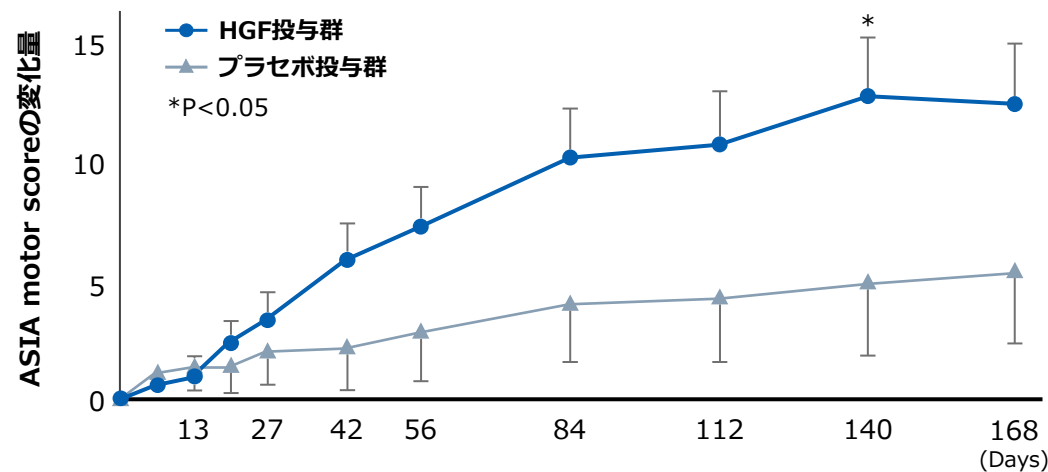
安全性について **大きな問題はなかった**

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*)

* 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)

希少疾病用医薬品指定（オーファン指定）【医薬品医療機器法 第77条の2】

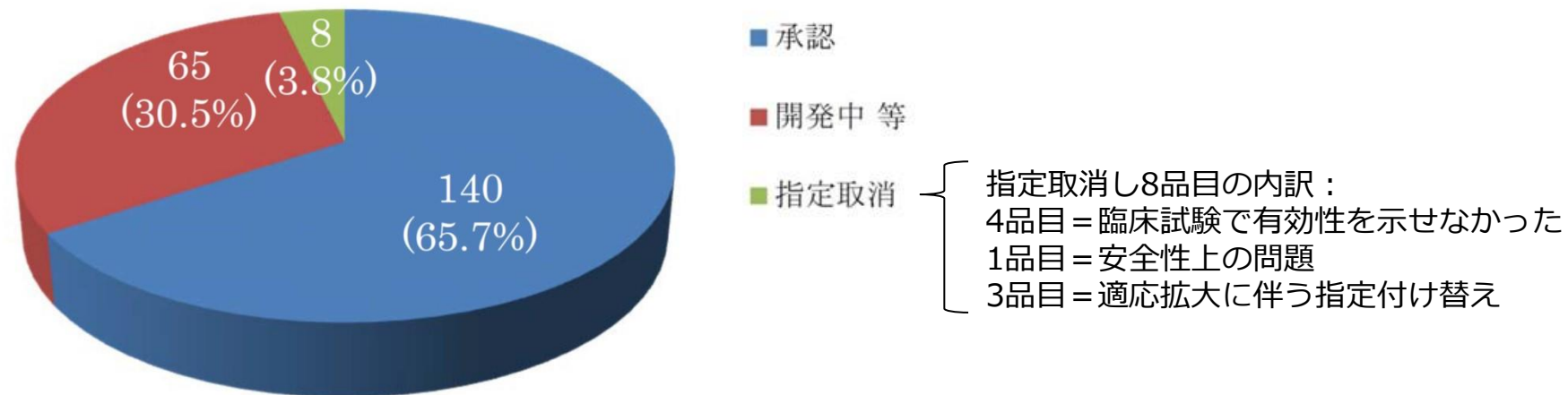
指定基準

- ① 国内における対象者数が5万人未満であること。
- ② 医療上、特にその必要性が高いこと（治療法がない、または既存薬よりも著しく優れている）。
- ③ 開発の可能性が高いこと。←**日本独自の要件、臨床試験による安全性・有効性データが求められる。**

指定によるメリット

- 開発費の助成（上限50%、原則3年間）
- PMDAの優先審査、相談申請手数料の減額
- 再審査期間の延長（10年間の市場独占期間が得られる）

2004年4月～2016年3月にオーファン指定された213品目の開発状況（2016年12月末時点）

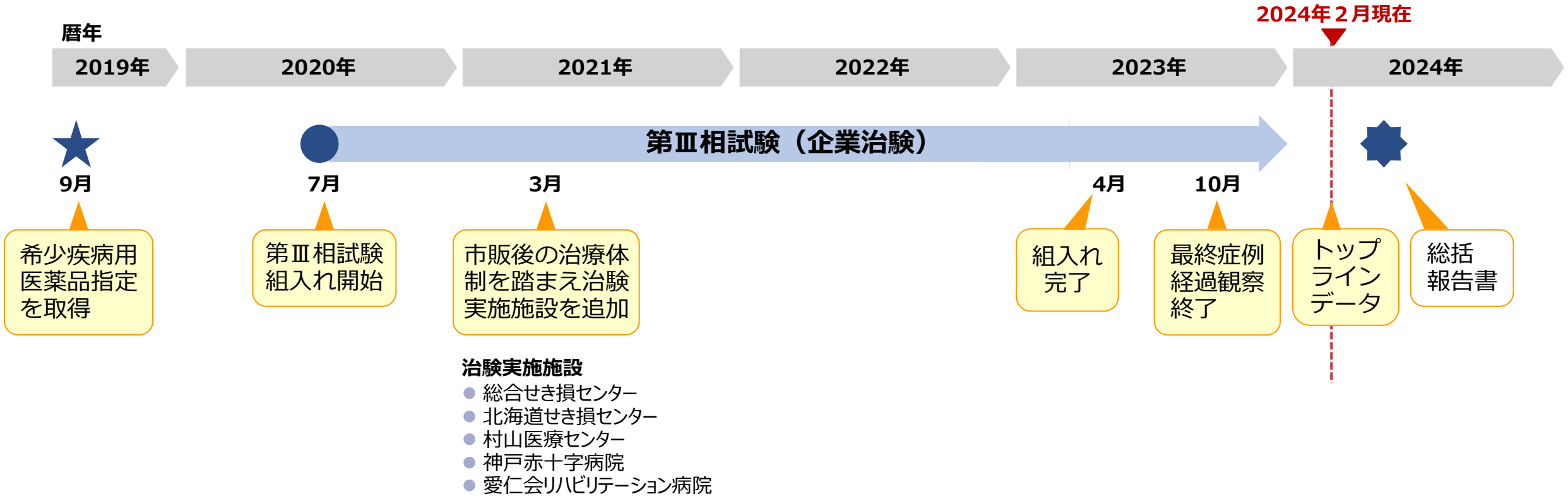


出典：日本の希少疾病用医薬品の指定要件の現状に関する研究－製薬企業に対するアンケート調査にもとづく検討－
医薬産業政策研究所リサーチペーパー・シリーズ No. 70 (2017)

脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

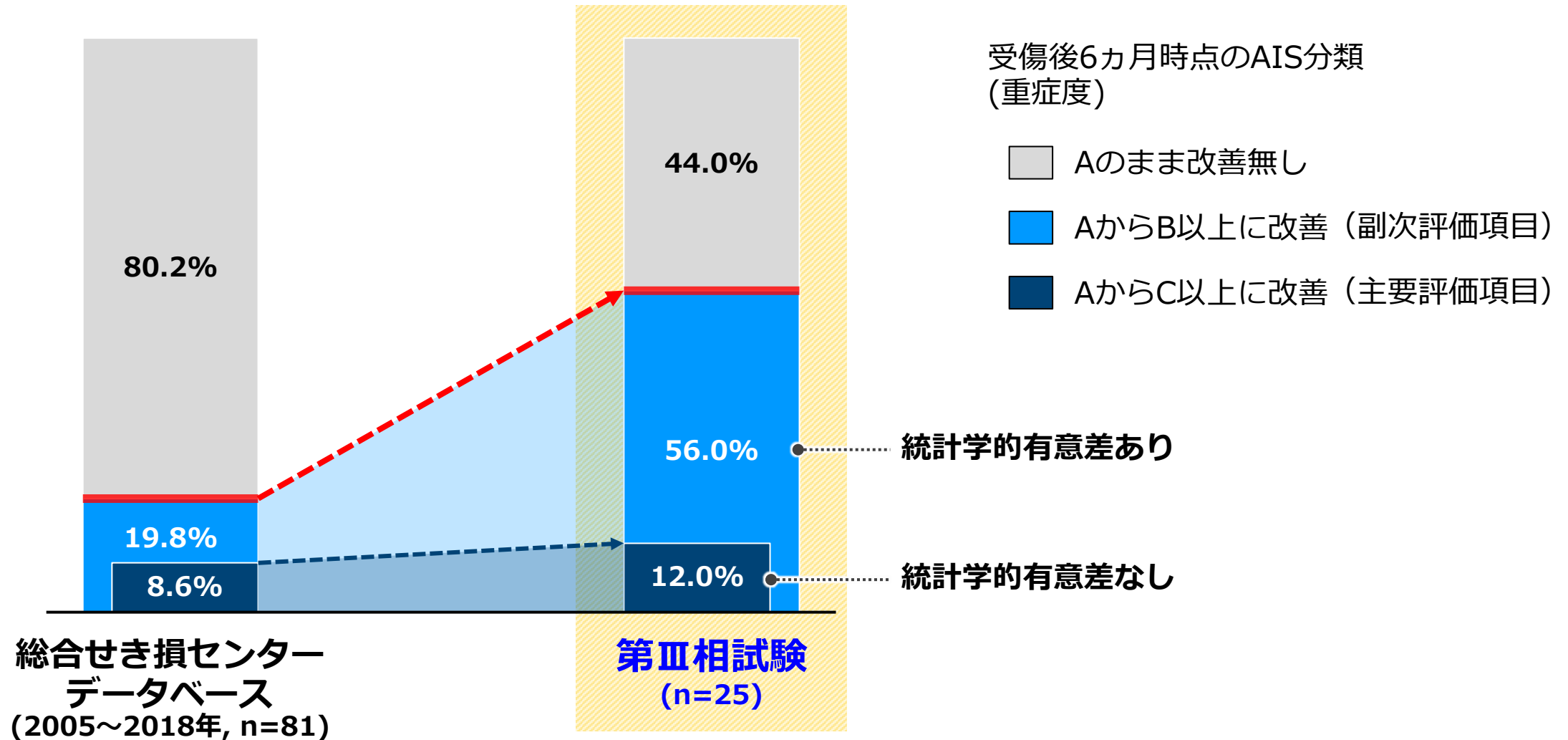


- 試験デザイン： 多施設共同非ランダム化試験 (HGF投与群のみ)
- 登録症例数： 26症例 (うち有効性の評価対象は25例)
- 対象患者： 頸髄損傷 (AIS分類：A)、年齢：18～89歳
- 用法： 脊髄腔内投与 (受傷後72時間より週1回×5回)、観察期間6ヵ月
- 主要評価項目： 治験薬投与後6ヵ月のAISがC以上に改善した症例割合
- 実施施設： 国内5施設



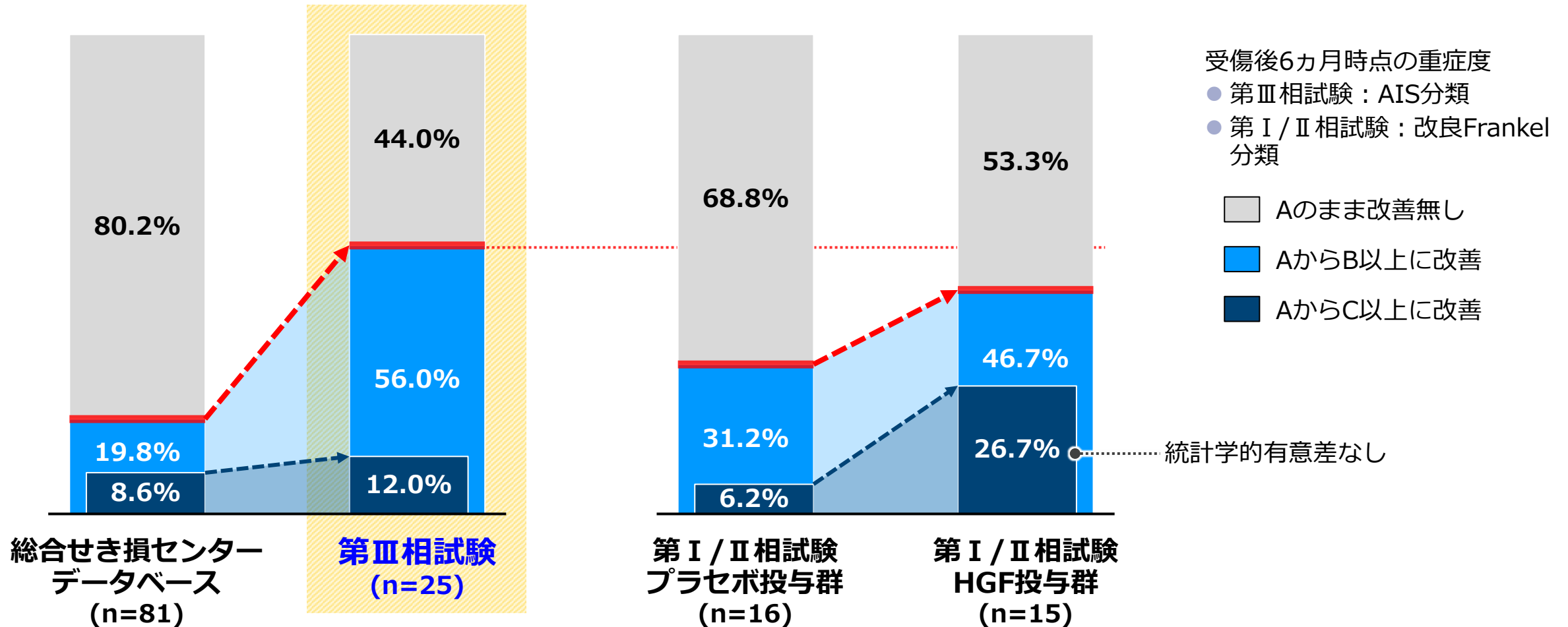
脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 – 重症度の改善 –

- HGF投与により重症度の改善傾向が認められた。



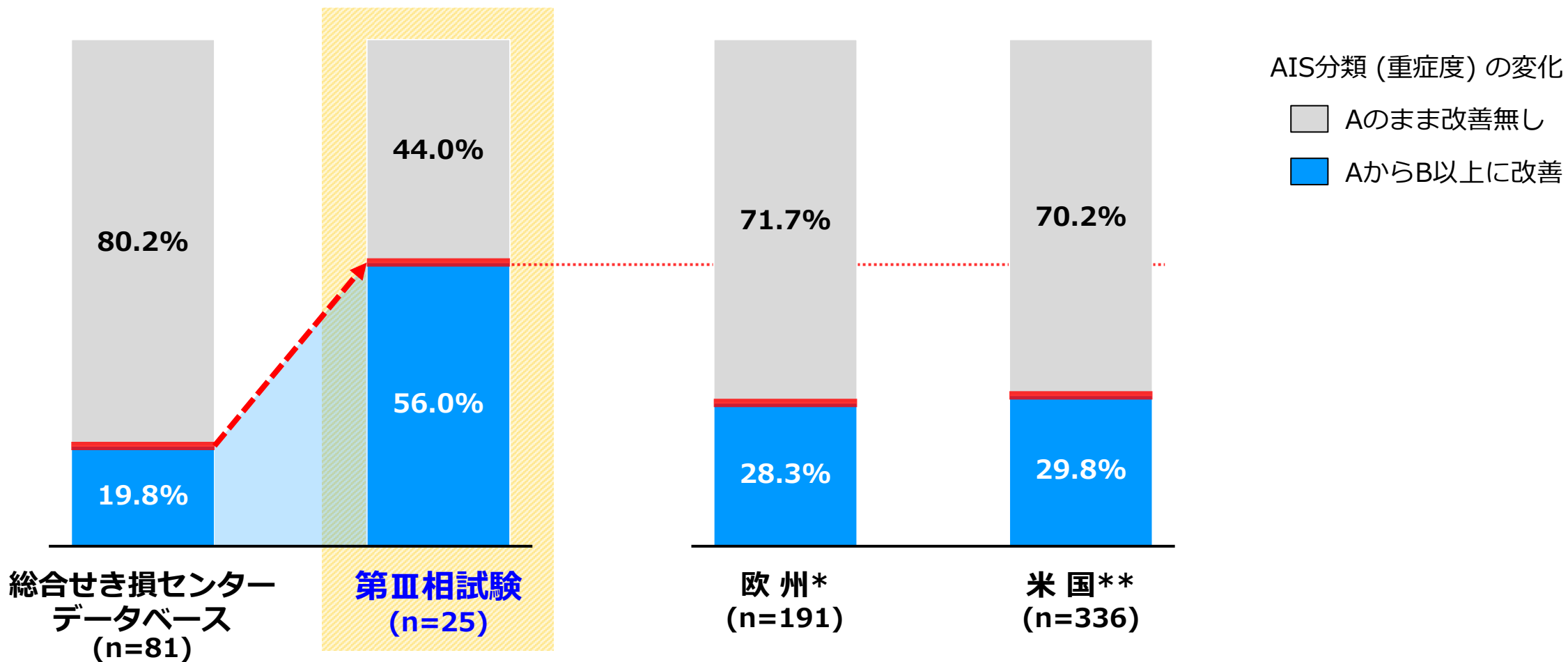
脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 – 重症度の改善、前相との比較 –

- 重症度の改善傾向は再現された。
ただし、B以上への改善率：第Ⅲ相 > 第Ⅰ/Ⅱ相、C以上への改善率：第Ⅰ/Ⅱ相 > 第Ⅲ相



脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 – 重症度の改善、海外データベースとの比較 –

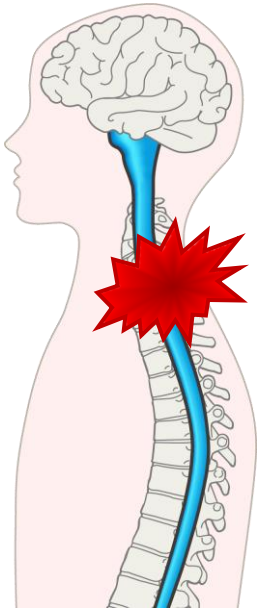
- 重症度B以上への改善割合は、海外の文献データと比較しても優れていた。



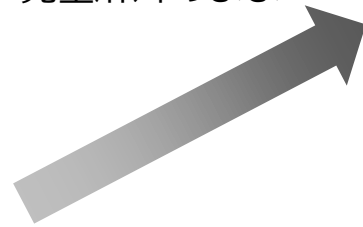
* Spiess et al, J Neurotrauma. 2009. European Multicenter Study on Human Spinal Cord Injury (EM-SCI database) 2003-2007, baseline within 15 days, discharge after 6 months.

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

急性期 完全麻痺

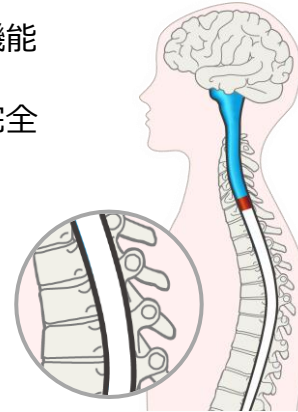


HGF投与がなければ
約70%の患者は
完全麻痺のまま



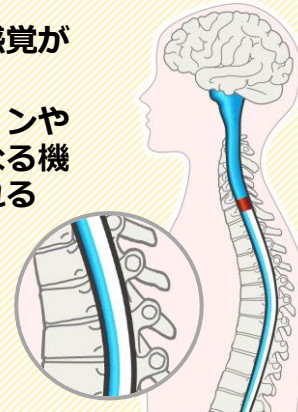
完全麻痺 AIS A

- 脊髄が脱落し、機能回復が困難
- 感覚・運動共に完全麻痺



不全麻痺 (運動喪失) AIS B

- 脊髄が残存し、感覚が不全
- リハビリテーションや細胞治療でさらなる機能回復が期待される

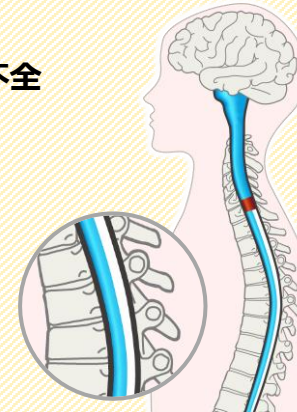


HGF投与により
半数以上がB以上に
改善



不全麻痺 (運動不全) AIS C

- 脊髄が残存し、
感覚・運動共に不全



脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 –レスポンスの割合、前相との比較–

ASIA motor score

第Ⅰ / Ⅱ相
プラセボ群

第Ⅰ / Ⅱ相
HGF投与群

第Ⅲ相

5点以上改善
した症例割合
(臨床的に意味の
ある改善*)

31.2%

33.3%

60.0%

10点以上改善
した症例割合

18.8%

33.3%

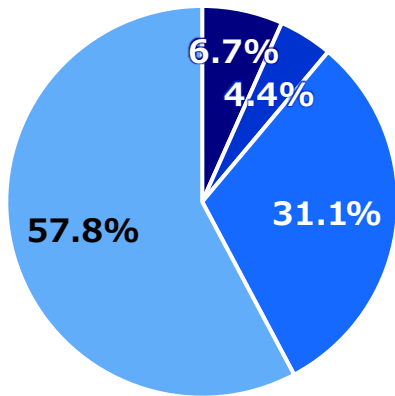
20.0%

* Scivoletto et al, Eur J Phys Rehabil Med. 2013.

脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 – 患者背景、前相との比較① –

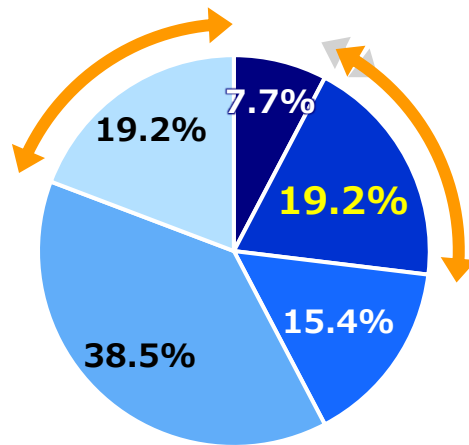
年齢

第Ⅰ / Ⅱ相



第Ⅲ相

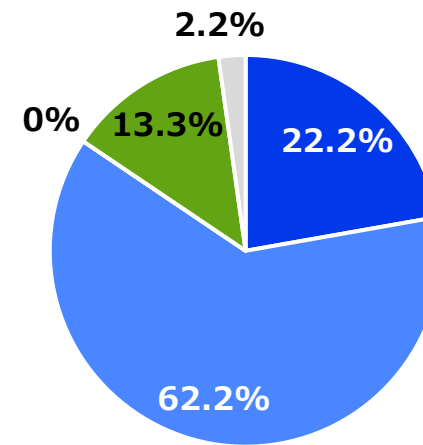
- 壮年層 (31~45歳) が増えた
- 76歳以上の高齢者を組入れた



■ 16~30歳
 ■ 31~45歳
 ■ 46~60歳
 ■ 61~75歳
 ■ 76歳~

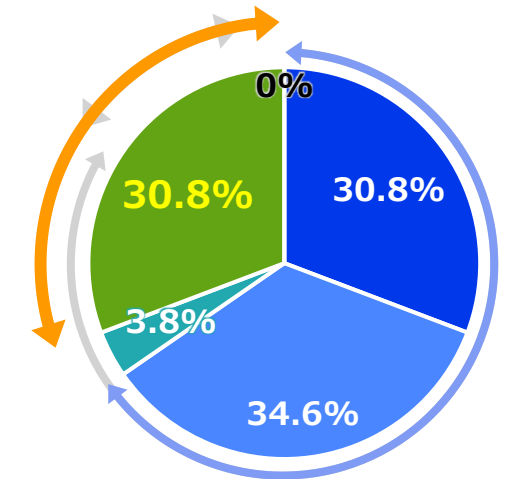
受傷原因

第Ⅰ / Ⅱ相



第Ⅲ相

- 交通事故が増え、転倒・転落が減った



■ 転倒
 ■ 転落
 ■ スポーツ
 ■ 交通事故、事故
 ■ その他

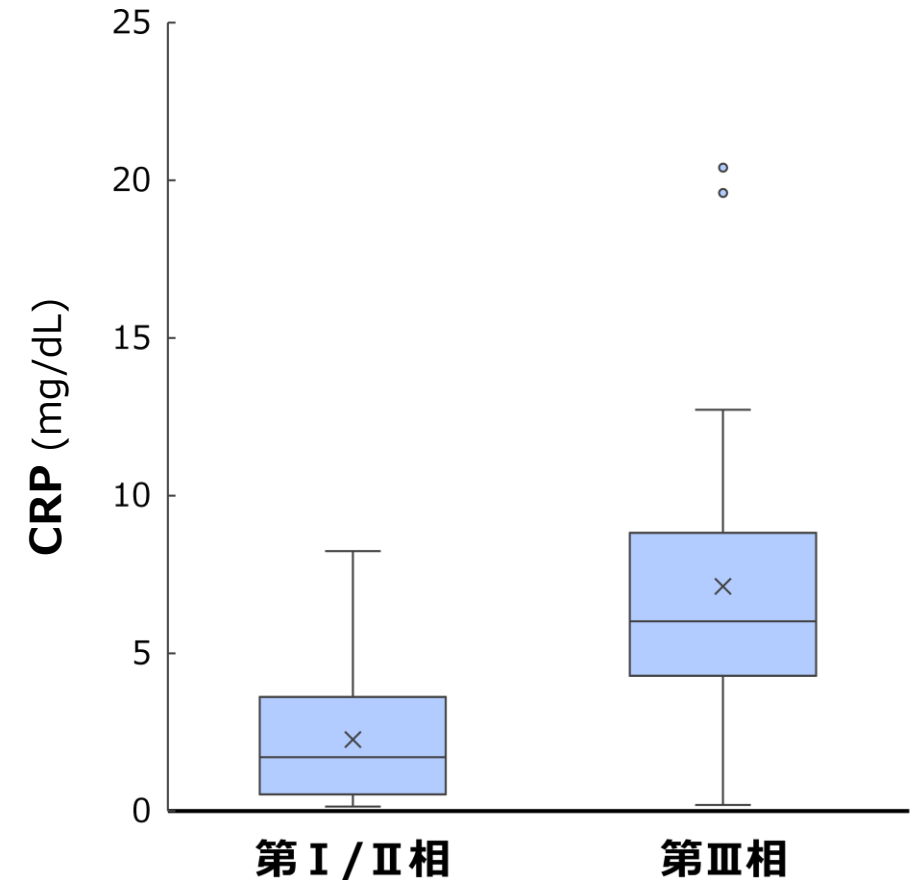
CRPが高値である患者の割合 (%) SAS

CRP (mg/dL)	第 I / II 相	第Ⅲ相	データベース
10.41以上	0%	15.4%	4.5%

血中CRPの平均値 (mg/dL)

	第 I / II 相	第Ⅲ相	データベース
CRP値	2.27±1.70	7.13±4.88	2.74±3.52

- CRP : C反応性タンパク質のこと。感染症、外傷、炎症等によって血中で上昇する。
- 脊髄損傷では、受傷72時間でCRP値が10.41 mg/dlを超える症例は自然回復が認められず、予後不良因子として報告されている。
Ozaki et al, Spinal cord 2021 Nov;59(11):1155-1161.



- **第Ⅰ / Ⅱ相試験：**

高齢者の転倒・転落などによる中心性頸髄損傷の症例が多かった。

→ 下肢が回復しやすく、改良Frankel分類 Cまで改善した症例、ASIA motor scoreが10点以上改善した症例が多かった。

- **第Ⅲ相試験：**

壮年層の交通事故など高エネルギー外傷を伴うより重度な症例が多かった。

→ AIS Bまで改善した症例、ASIA motor scoreが5点以上改善した症例は多かったが、AIS CまであるいはASIA motor scoreが10点以上改善するまでには至らなかった。

第Ⅲ相試験結果のまとめ

- 有効性について： 主要評価項目であるAIS C以上への改善については有意差がなかった。一方、副次評価項目であるAIS B以上への改善については有意差が認められた。
- 安全性について： 安全性・忍容性が確認された。
- コロナ禍の影響により、第Ⅲ相試験の患者背景は第Ⅰ/Ⅱ相試験とは異なっていたと考えられる。これが第Ⅰ/Ⅱ相試験結果との差異要因ではないかと推測された。今後、患者背景の差異を考慮して更なる層別解析を実施する。

当社の見解

- 第Ⅲ相試験によって、安全性と共に有効性は検証できた。

今後の方針

- PMDAと製造販売承認申請について協議を行う。
- 製造販売承認申請に向けた準備を継続する。

2024年9月期第1四半期決算概況

2024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
2023年10月	脊髄損傷急性期を対象とする第Ⅲ相臨床試験の最終観察日終了
2023年10月	重度脊髄損傷に対する当社と慶應義塾大学による共同研究成果の論文掲載 ラットモデルにおいて、急性期にHGFを投与し、その後亜急性期にiPS細胞由来神経幹/前駆細胞を移植することで、細胞移植単独治療よりも大きな機能回復を得ることに成功
2023年11月	HGF の新たな製造方法に関する特許の優先権主張出願
2023年11月	脊髄損傷急性期に対する米国での開発に関し、米国FDAよりpre-INDミーティングにかかる回答受領
2024年1月	当社協業先であるクラリス・バイオセラピューティクス社より資金調達並びに今後の予定がリリース

2024年9月期第1四半期 経営成績の概況

損益計算書の概要 前年対比

(単位：百万円)

	2023年9月期 第1四半期	2024年9月期 第1四半期	2024年9月期第1四半期 内容	2024年9月期 通期業績予想
売上	17	18	● 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	174	187		1,342
研究開発費	119	128	● 脊髄損傷の治験費用及び米国開発に関する準備費用 ● 声帯癒痕の治験費用 ● 製造開発に係る各種試験費用	1,059
営業損失	△157	△168		△1,133
営業外収益	—	0		26
営業外費用	0	1		—
経常損失	△157	△169		△1,107
法人税等	0	0		1
四半期純損失	△157	△169		△1,109

* 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。

2024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

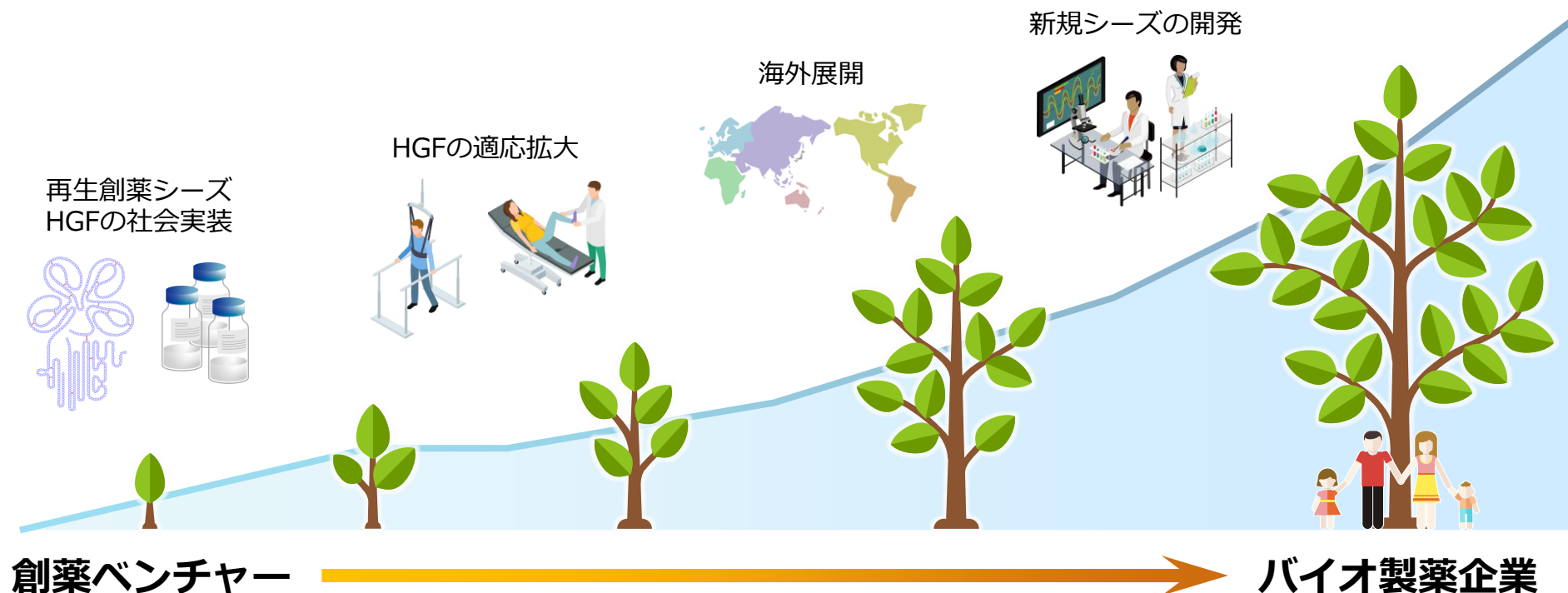
(単位：百万円)

	2023年9月期 期末	2024年9月期 第1四半期末	増減	主な増減理由
流動資産	2,617	2,843	225	● 現預金の増加
現預金	2,136	2,341	204	● 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	2,844	226	
流動負債	209	93	△115	● 製造開発に係る未払金の減少
固定負債	387	389	1	
負債合計	596	483	△113	
純資産合計	2,021	2,361	339	● MSフロント新株発行による増加 ● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,618	2,844	226	
自己資本比率	76.6%	82.7%		

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



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)、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1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	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 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1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

* 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1月時点



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
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 ※日本法人設立、数年以内に日本での承認を目指す。
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。
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	申請	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、2024年1月承認申請
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トラック指定
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