



2025年9月期 通期決算説明会

2025年11月14日

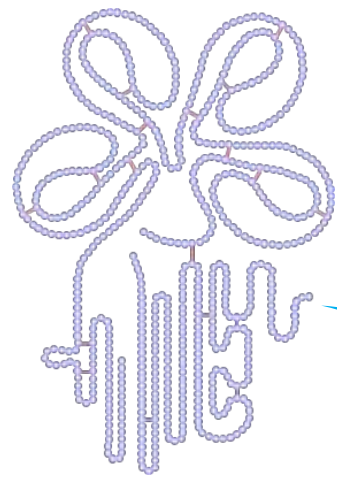
クリングルファーマ株式会社
(東証グロース：4884)

- 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。

- **2025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
 - 声帯癥痕
 - 筋萎縮性側索硬化症（ALS）
- **成長戦略**
- **2025年9月期 通期決算概況**
2026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
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	64百万円 (2025年 9 月末時点)
役員数	取締役7名、監査役 3 名
従業員数	17名 (2025年 9 月末時点)

2025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【日本】

● 脊髄損傷急性期【日本】

- 追加試験を実施し承認申請を行う方針決定
- 第一種医薬品製造販売業許可を取得⇒返納

(2025年7月)
(2025年1月⇒8月)

● 声帯癬痕

- 第Ⅲ相試験の治験施設を追加（計8施設で組入れ継続）
- 2025年12月までに目標症例数に到達見込み **New**

(2025年1月)

● ALS

- 第Ⅱ相試験のバイオマーカー測定終了、データ解析中 **New**

(2025年9月)

海外展開に向けて

● 脊髄損傷急性期【米国】

- FDAより希少疾病用医薬品指定を取得

(2025年6月)

● 米国にて子会社設立 **New**

(2025年11月)

適応拡大に向けて

● ペロニー病（線維化疾患）への応用研究

- 神戸大学との共同研究開始

(2025年6月)

● 末梢神経障害への応用研究

- 慶應義塾大学との共同研究開始 **New**

(2025年8月)

● 徐放性創傷治療剤の開発

- 京都大学との共同研究開始 **New**

(2025年10月)

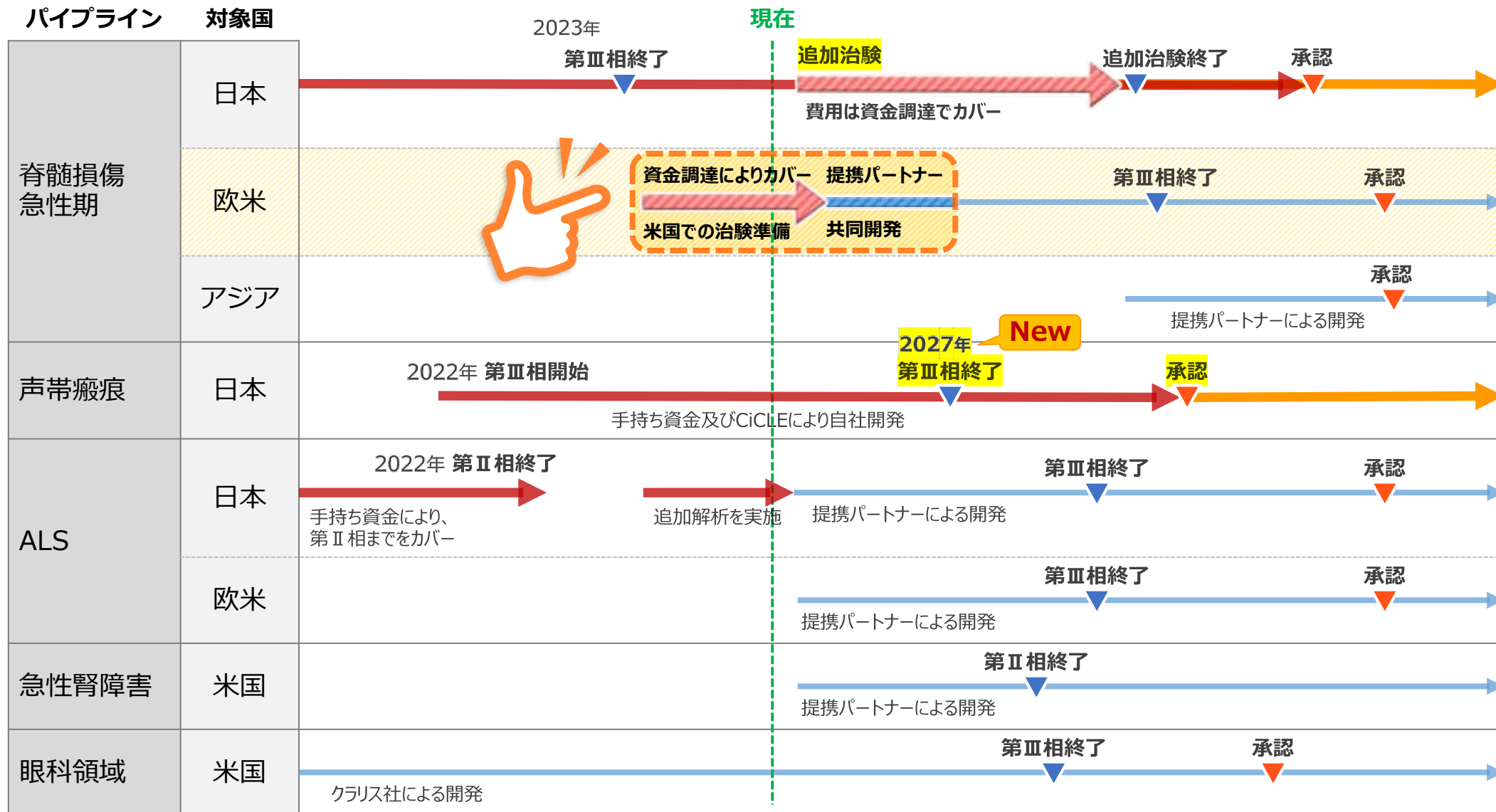
開発パイプラインの進捗状況

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（単群非盲検試験）終了 追加治験計画中	終了		終了 追加治験 計画中	PMDAと 協議中	
2	声帯癬痕	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			

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 －

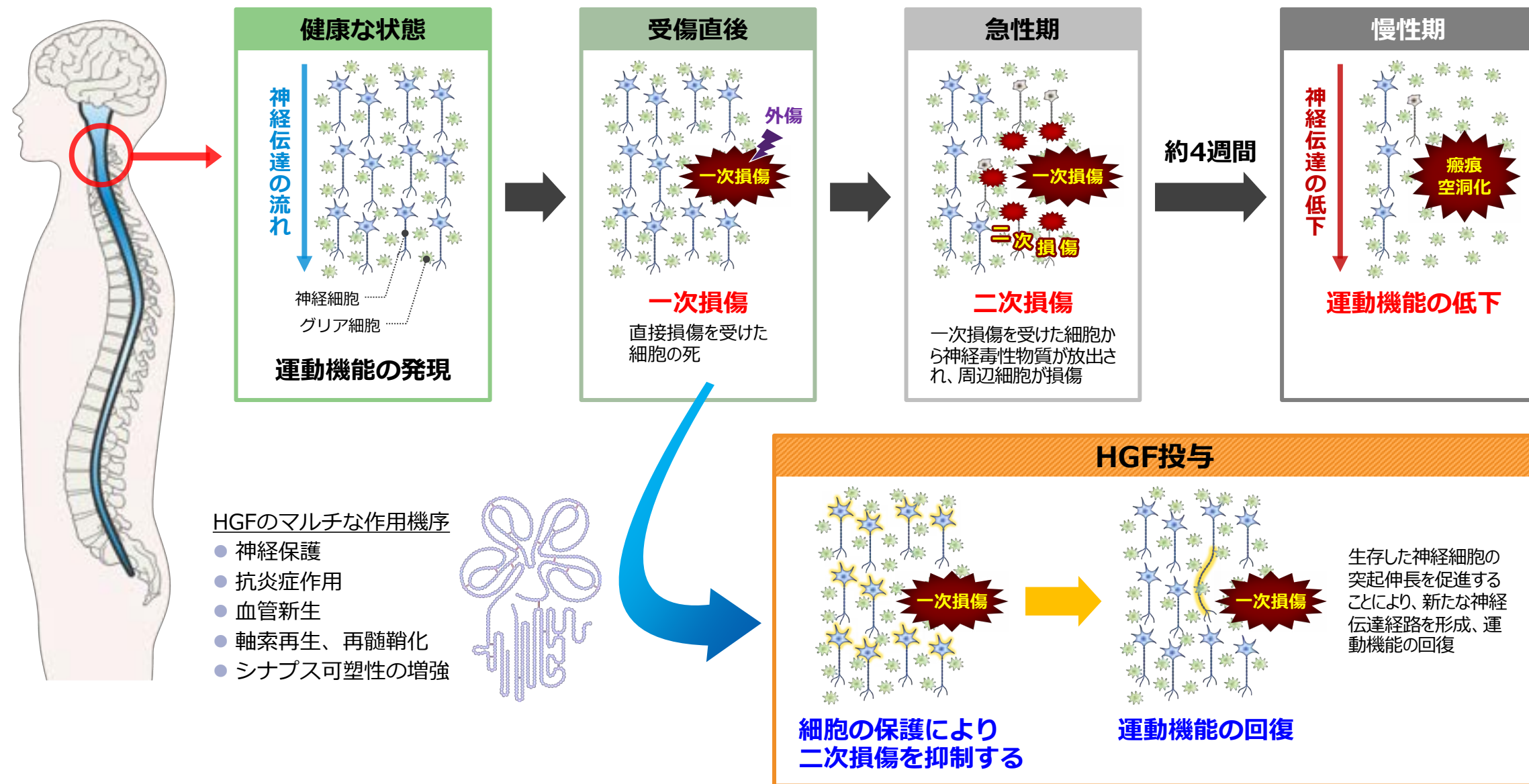
疾患の特徴

- 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



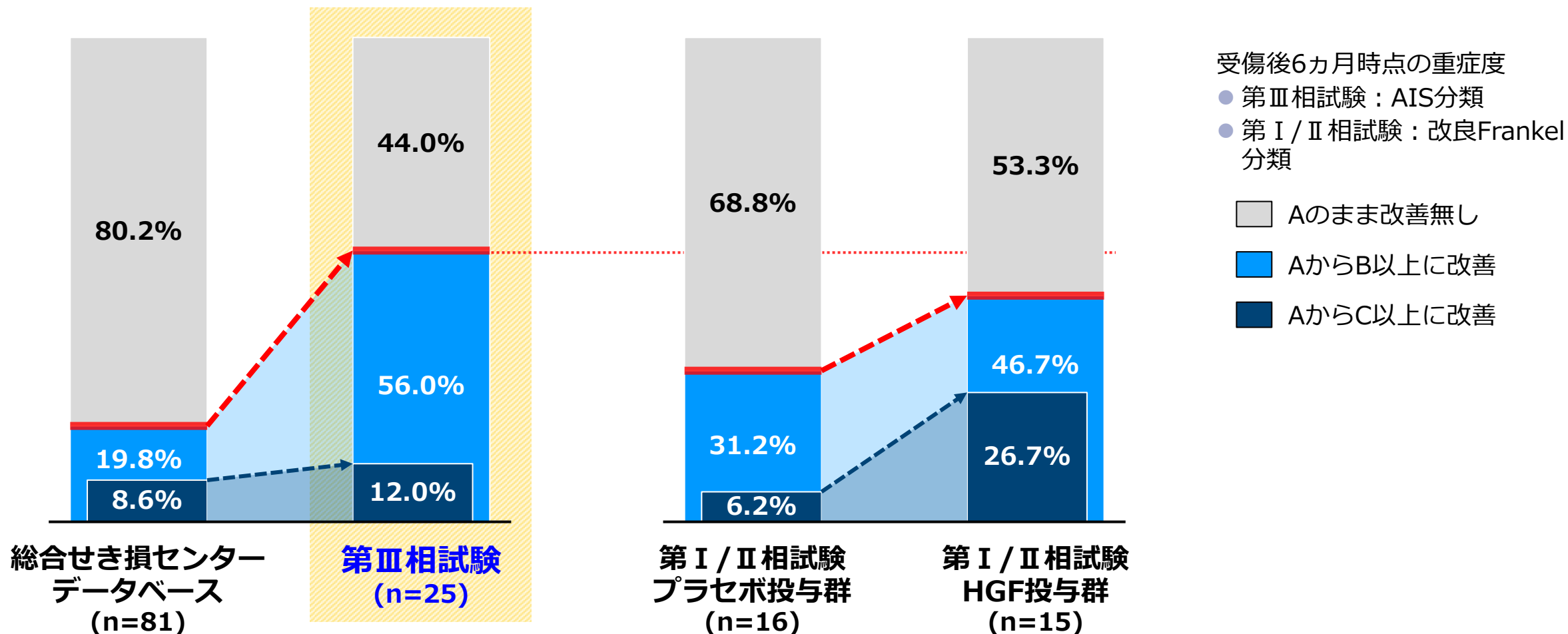
脊髄損傷急性期 第Ⅲ相試験 – 重症度の改善、第Ⅰ / Ⅱ相との比較 –

(論文及び学会発表に向けて準備中)

- 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

New



- **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。

コロナ禍に実施

- **第Ⅲ相試験：**

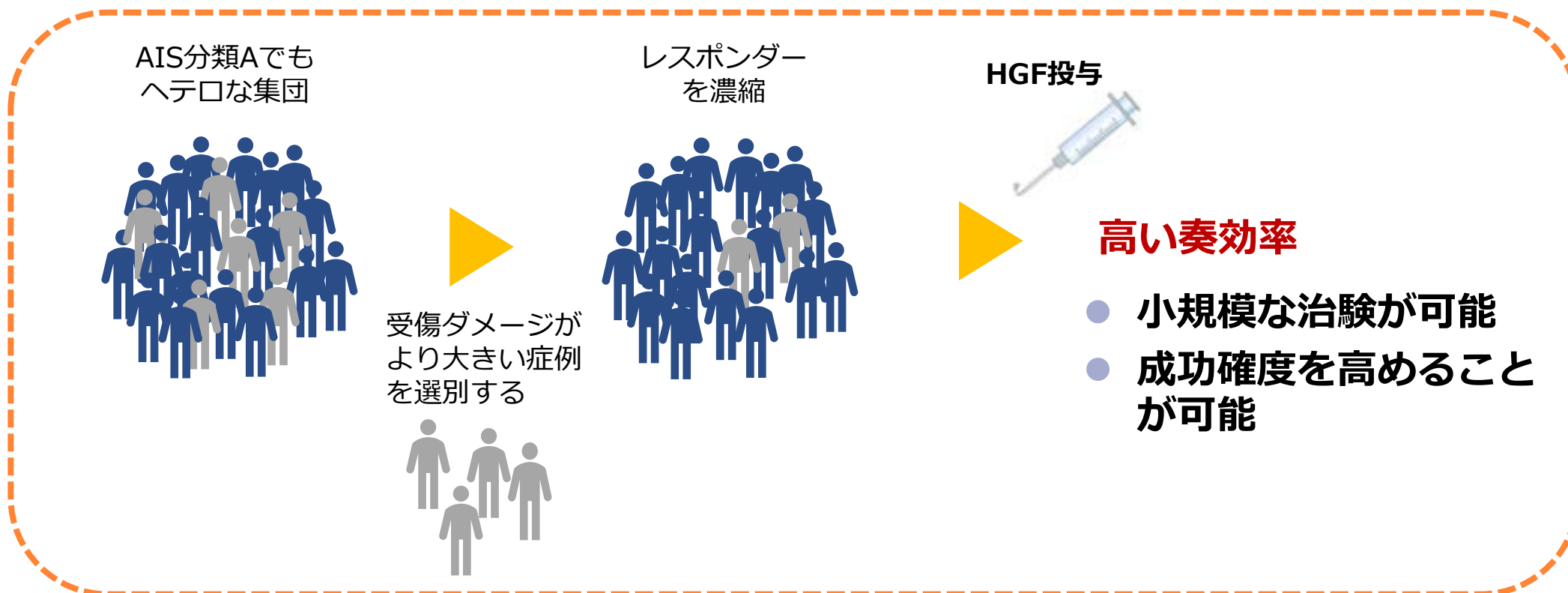
壮年層の交通事故など高エネルギー外傷を伴うより重度な症例が多かった。

→ 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。



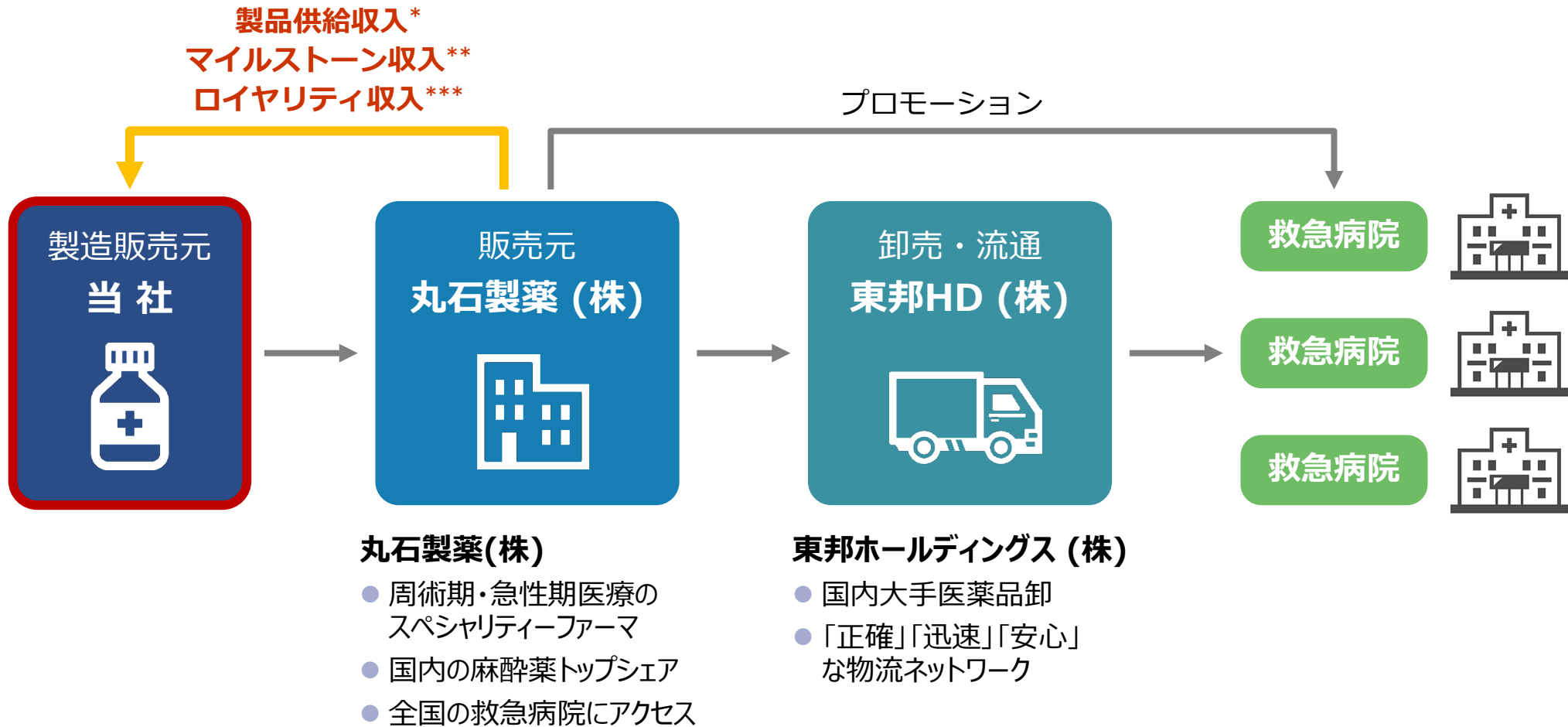
**PMDAとの協議の結果、追加の臨床試験を実施し
有効性のデータを取得した上で承認申請を行うこととなった。**

臨床開発



* 追加治験の概要につきましては、内容が決定次第もしくは状況が確定次第速やかにお知らせいたします。

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

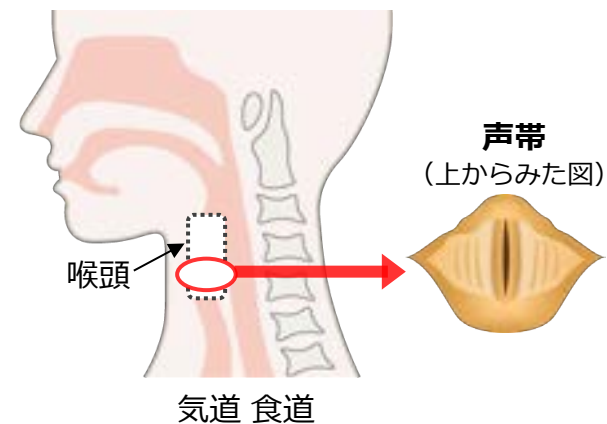
－ 声帯癒痕 －

声 帯

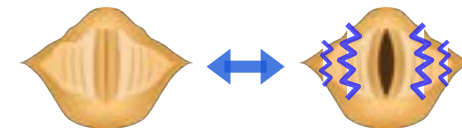
- 1秒間に200～300回振動して発声
- 表面は粘膜、内側は筋肉や靱帯からなる層構造

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

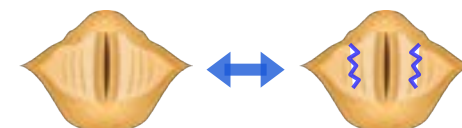


正常な
声帯



発声時は振動する

声帯
癒痕



声帯が硬くなり全て閉じない
振動もしにくい

* 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



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。

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。

発表や本読みは辛い。友達が助けてくれます。

挨拶しない人だと思われのが辛い。

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。

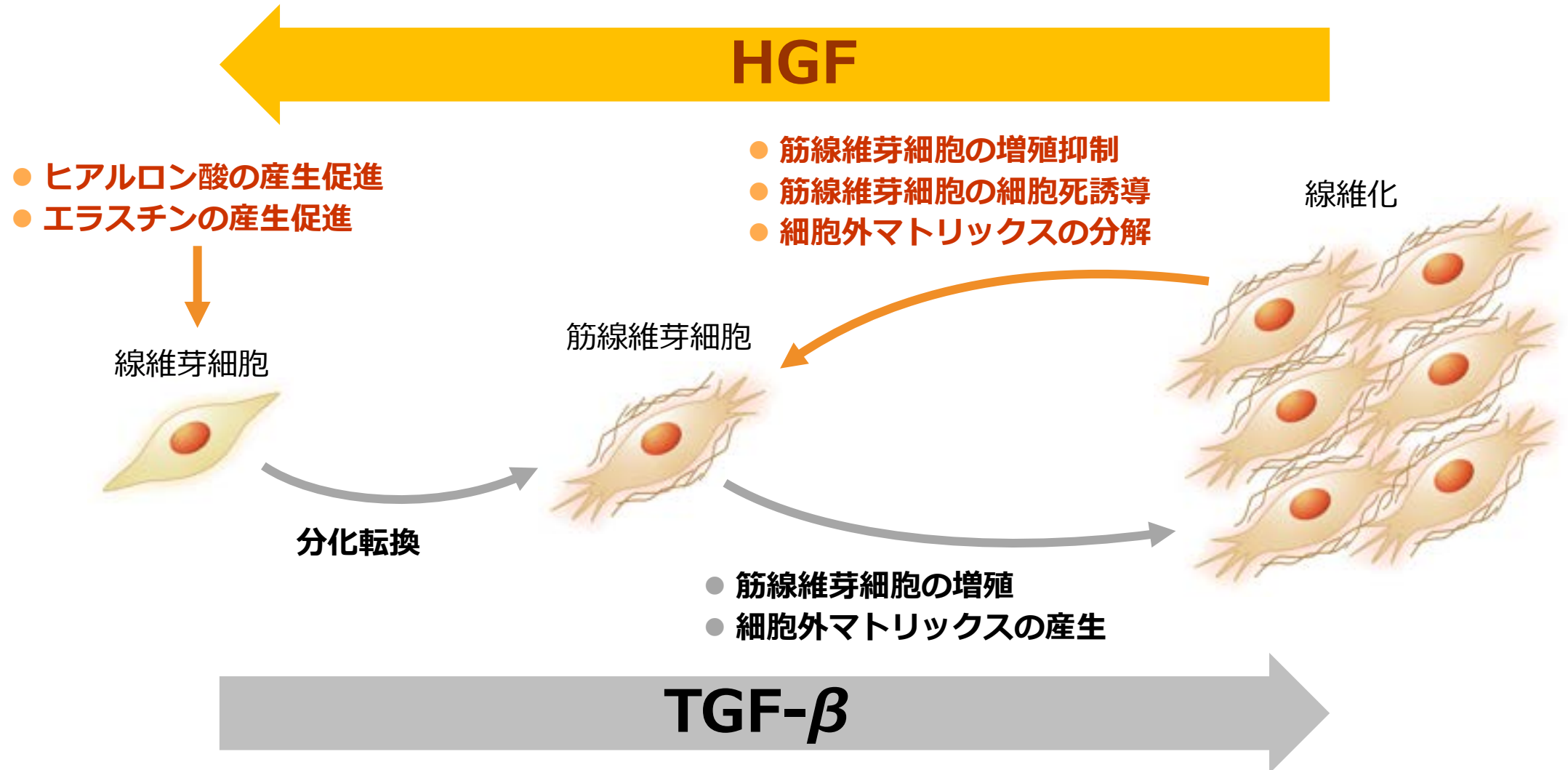
友だちに「声いつも震えてるからヤギのモノマネ上手そう！やってみて！」っていわれた。

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。

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、 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



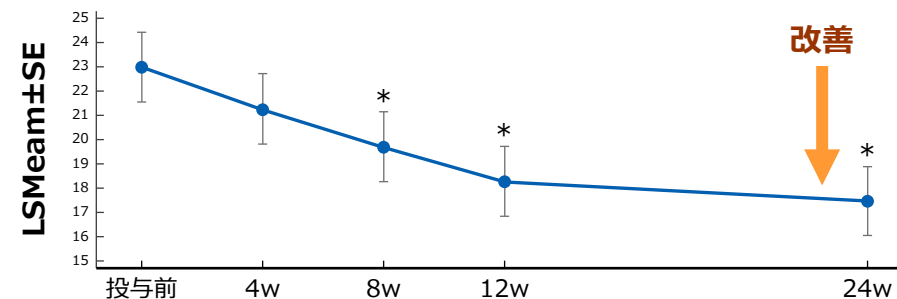
投与方法：

喉頭注射針 (a) を用いて
声帯局所に注射する (b)



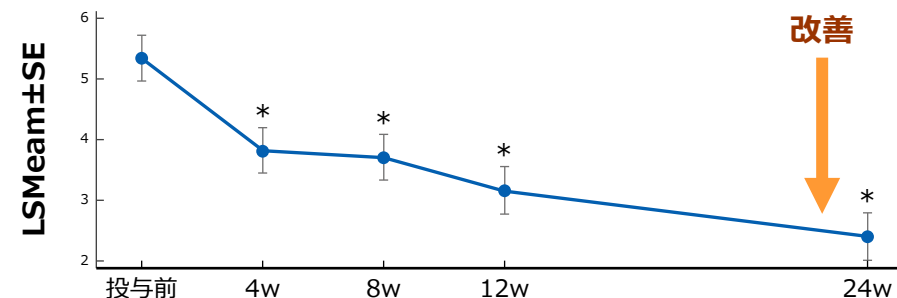
VHI-10 (被験者による主観的評価)

*P<0.05



GRBAS (第三者による聴覚的評価)

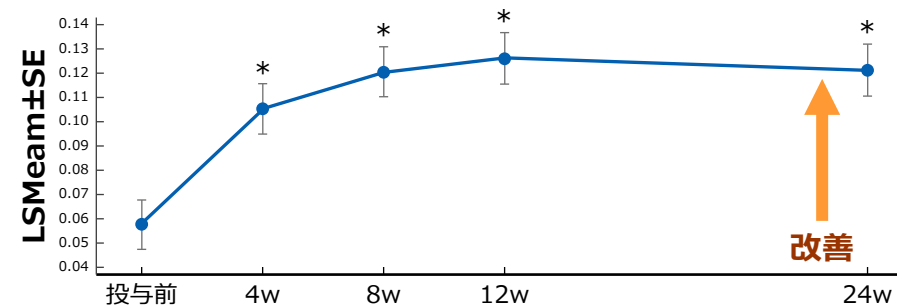
*P<0.05



Vocal fold vibratory amplitude

(声帯の振動振幅の物理的な機能評価)

*P<0.05

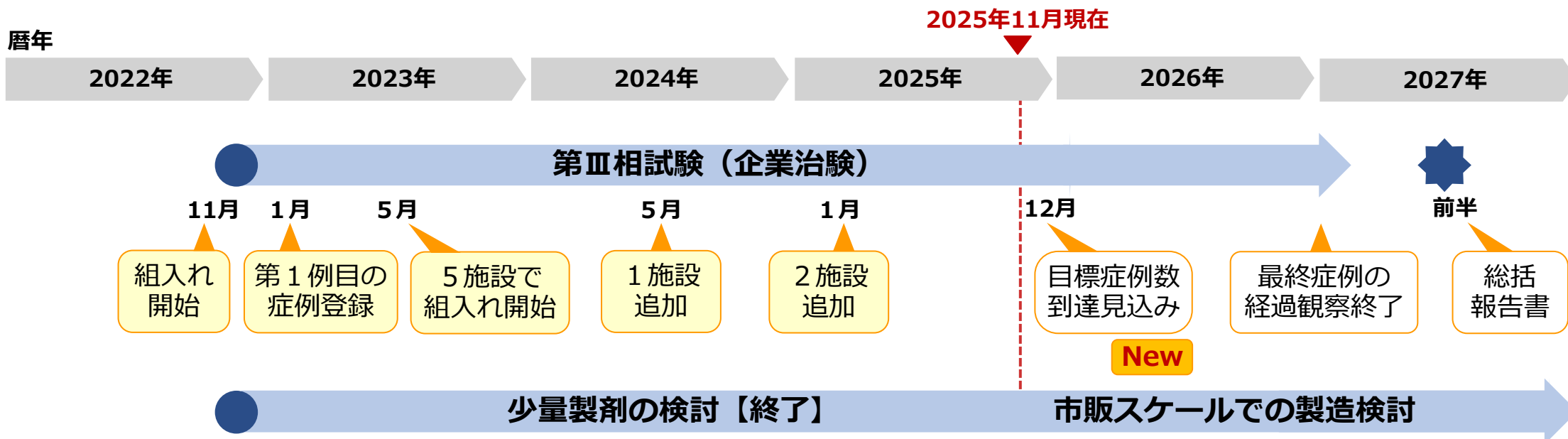


Hirano et al, J Tissue Eng Regen Med. 2018.

声帯癬痕 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： 声帯癬痕（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）

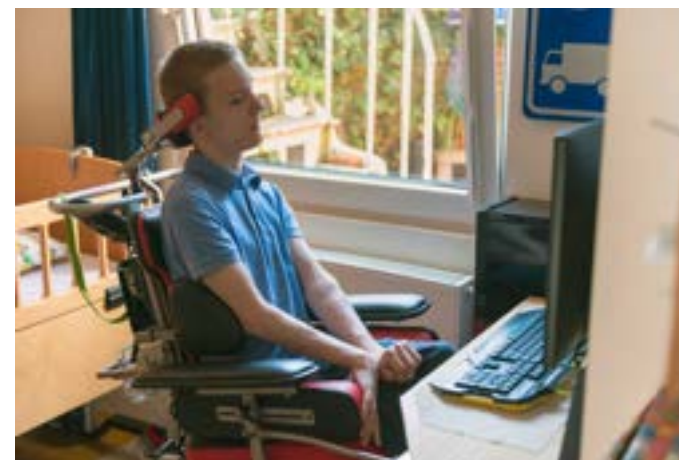


* Voice Handicap Index-10：10項目の質問から、自分の声をハンディキャップと感じている程度を患者本人がスコア化する。各質問は、0（障害なし）から4（最大障害）までの回答が設定されており、症状が悪化するほど高値となる。

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)

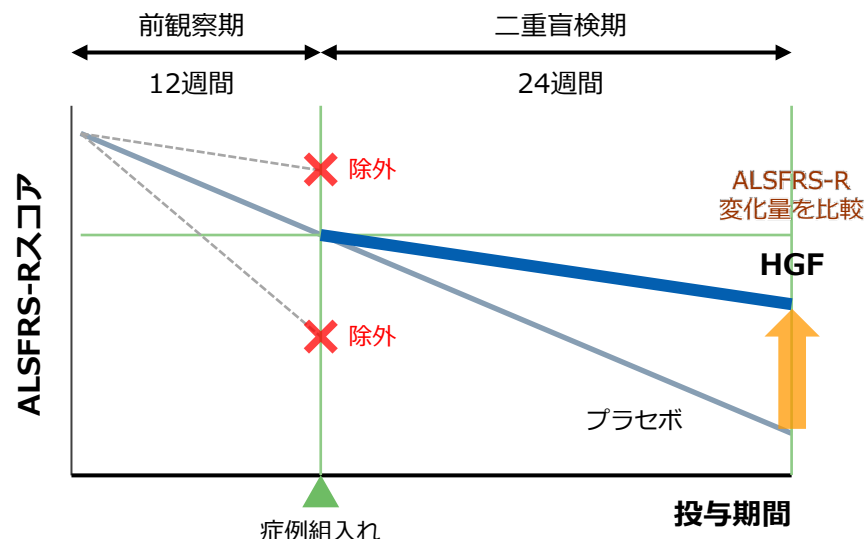
** 出典：公益財団法人 難病医学研究財団/難病情報センター HP、一般社団法人 日本ALS協会 HP、サノフィ社 LIVE TODAY FOR TOMORROW HP

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

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

- 主要評価項目及び副次評価項目*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

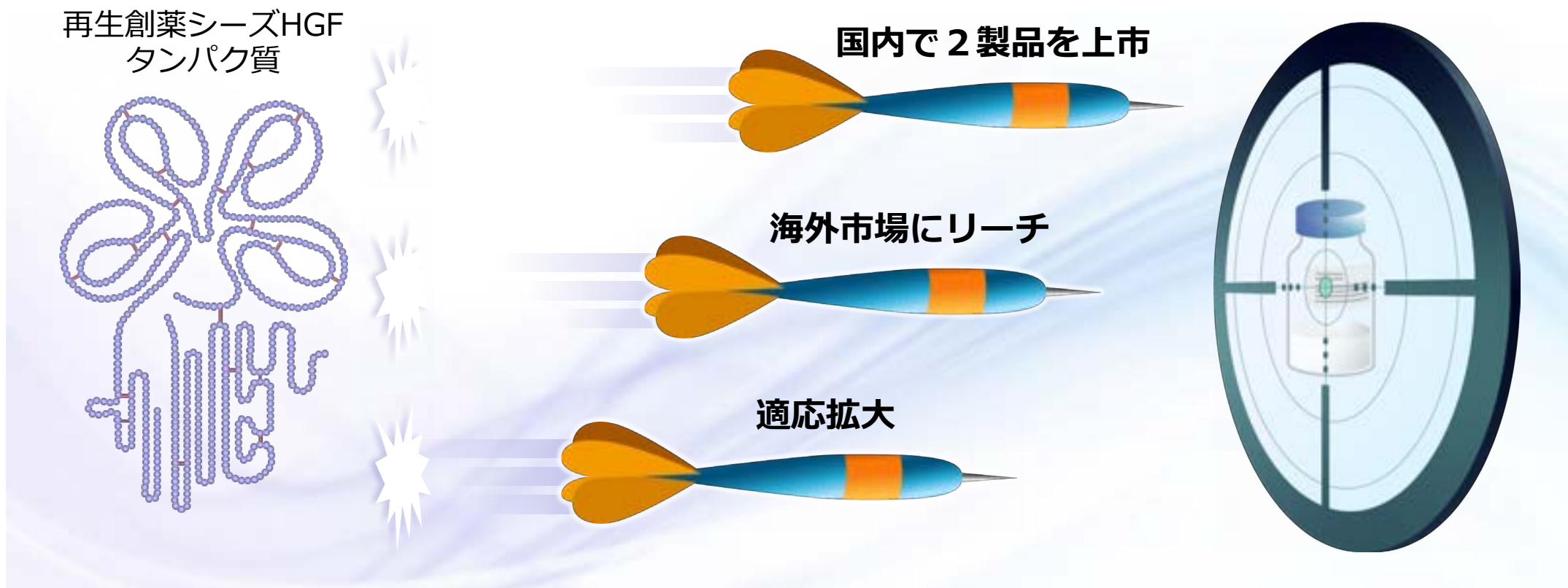
追加解析：東北大学と共同研究（2024年4月～2025年9月）

- 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
- 測定終了、臨床データと突合せ解析中 **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

クリングルファーマの成長戦略：3本の矢



「創薬ベンチャーからバイオ製薬企業へ」

資金調達により
国内レイトステージ
パイプラインの
開発を推進

- 脊髄損傷急性期

- 承認申請のための追加データの取得（追加治験）

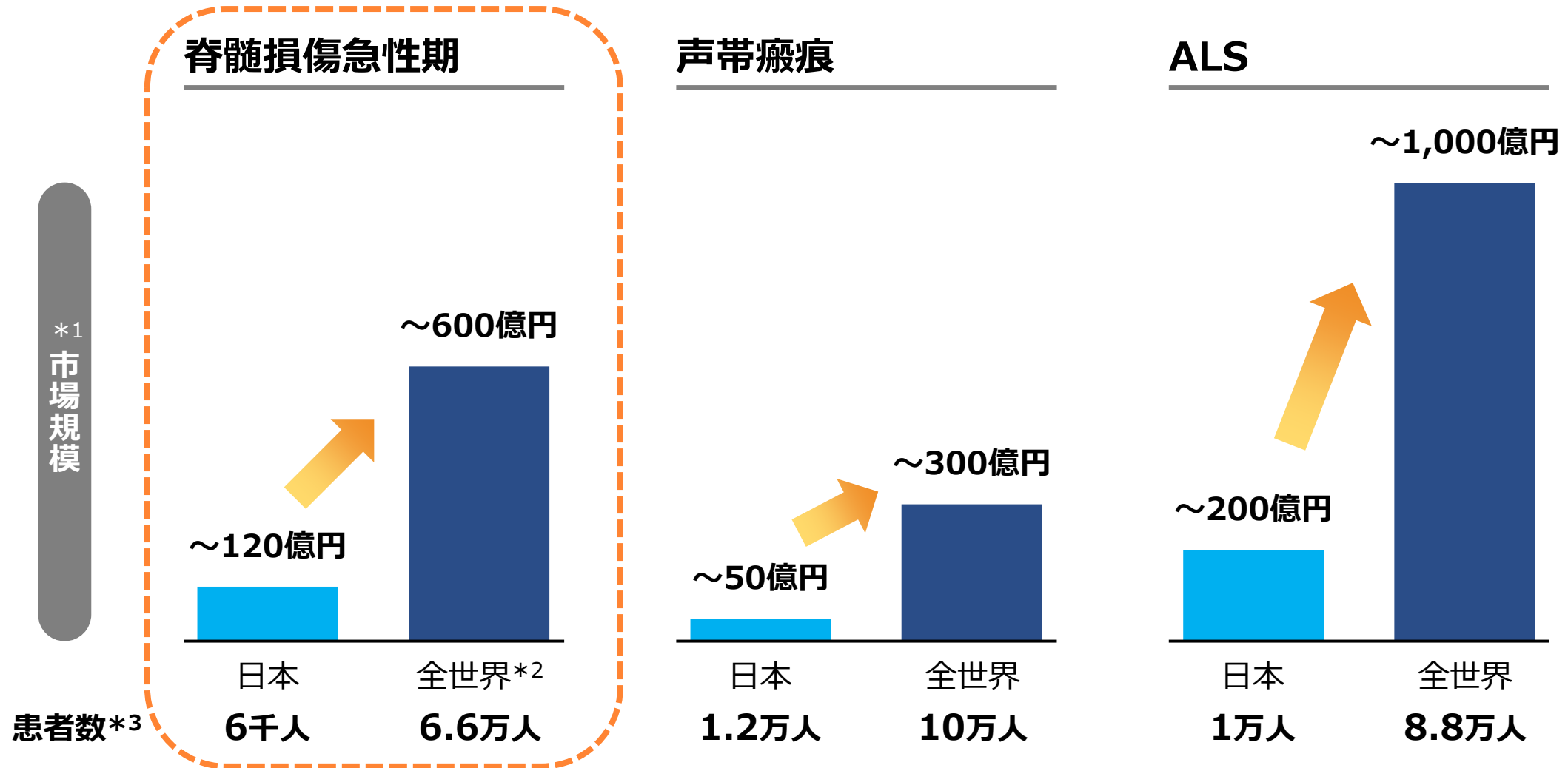
- 声帯癬痕

- 承認申請に必要な市販用製剤の試験製造



国内で 2 製品を上市し、上場維持基準をクリア

成長戦略 2：海外市場にリーチする



*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—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、声帯癬痕—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.Comm. (2016)

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

- 🎯 米国FDAよりオーファン指定を取得、北米のKOLとのネットワーク構築
- 🎯 米国にて子会社設立（Kringle Pharma USA, Inc.）New

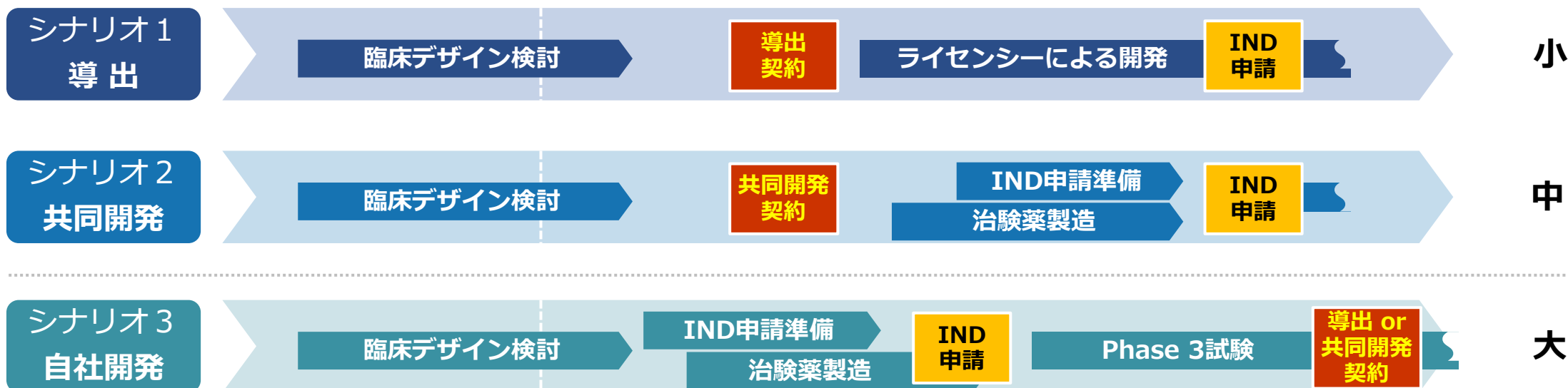
米国での開発戦略を明確化し、提携パートナーを獲得する（下図シナリオ 1 or 2）

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

3つの開発シナリオ

将来の収益規模

2025年12月現在

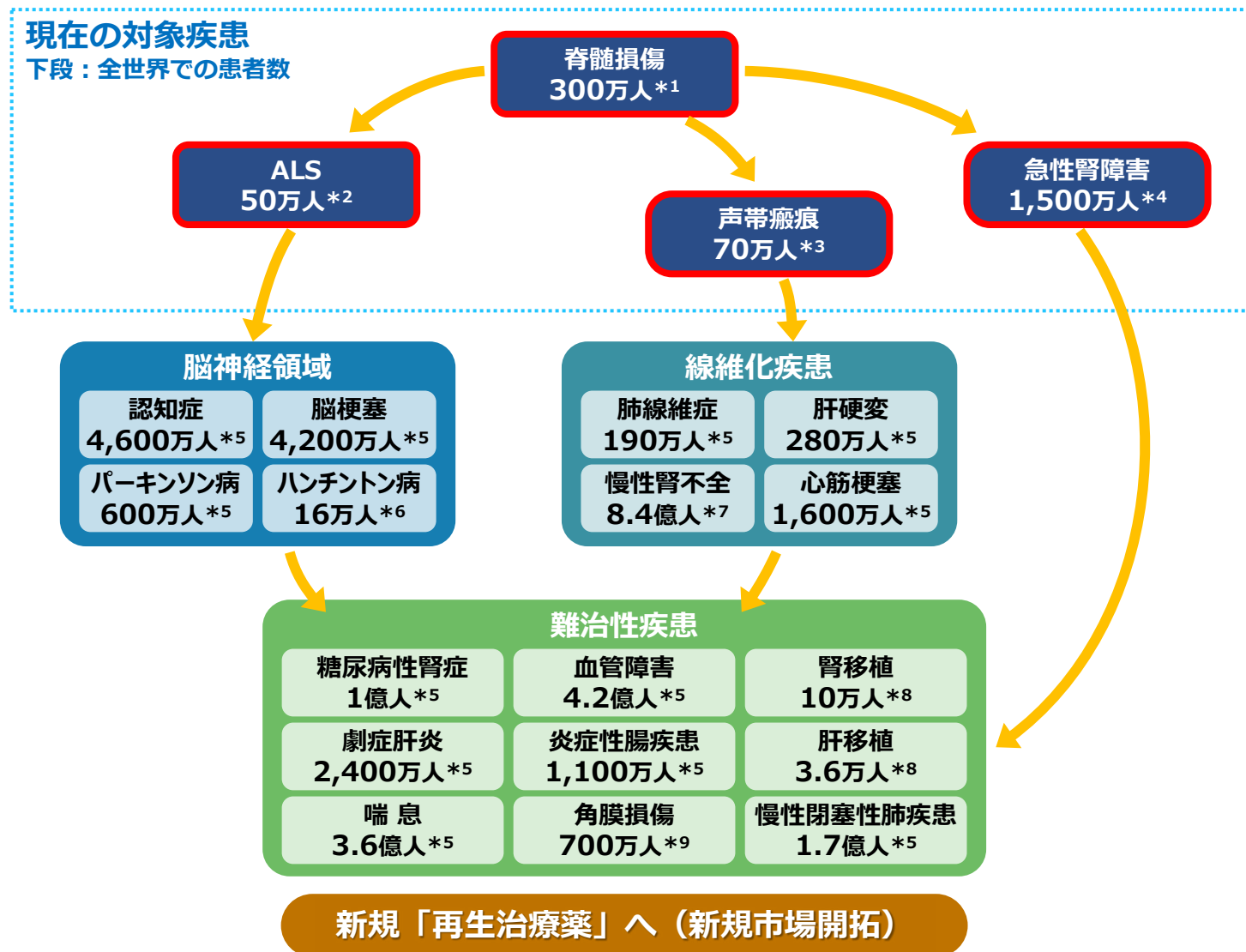




非臨床段階から 臨床初期段階の 新規パイプライン の創製



- 脊髄損傷急性期から慢性期への適応拡大
- 声帯癬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



HGF再生治療薬の適応拡大の可能性/全世界での対象患者数（参考文献）

<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)

適応拡大に向けたアカデミアとの共同研究

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

神戸大学大学院科学技術イノベーション研究科 白川利朗教授（泌尿器科）

- ペロ二ー病（線維化疾患）への応用研究

慶應義塾大学医学部整形外科学 岩本卓士准教授、名越慈人専任講師 **New**

- 末梢神経障害への応用研究

京都大学大学院医学研究科形成外科学 森本尚樹教授 **New**

- 徐放性創傷治療剤の開発

継続

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（論文発表済み） **New**

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（p60, 61）

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

2025年9月期 通期決算概況

2026年9月期 業績予想

2025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)

	2024年9月期 通期実績	2025年9月期 通期実績	増 減	2025年9月期 内 容
売上	80	72	△7	● クラリス社からの技術アクセス フィー
売上原価	—	—	—	
販売管理費	897	981	83	● オフィス開設及び採用増による費用
研究開発費	643	681	38	● 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 ● 声帯癬痕の治験費用
営業損失	△817	△909	△91	
営業外損益	62	△5	△57	
経常損失	△754	△914	△159	
法人税等	1	1	0	
当期純損失	△756	△916	△159	

2025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)

	2025年9月期 業績予想【A】 2024年11月13日	2025年9月期 業績予想(修正) 2025年7月16日	2025年9月期 通期実績【B】	増 減 【B-A】	主な増減理由
売上	272	71	72	△199	● クラリス社の技術アクセスフィーは想定どおり ● 承認申請に係るマイルストーン収入相当分を減額
売上原価	63	—	—	△63	● 承認申請マイルストーン収入に対応する原価を減額
販売管理費	1,587	1,011	981	△606	● 研究開発費の減少
研究開発費	1,223	702	681	△542	● 声帯癬痕の治療の患者組入れペースの遅れ及び、米国開発に係る各種試験費用の期ずれ
営業損失	△1,379	△939	△909	469	
営業外損益	—	△5	△5	△5	
経常損失	△1,379	△945	△914	464	
法人税等	1	1	1	0	
当期純損失	△1,380	△946	△916	464	

2025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)

		2024年9月期 期末	2025年9月期 期末	増 減	主な増減理由
流動資産		2,755	2,055	△700	● 現預金の減少
	現預金	2,313	1,619	△694	● 研究開発費等の支出による減少
	固定資産	1	23	22	
資産合計		2,757	2,079	△677	
流動負債		128	109	△18	
	固定負債	520	660	140	● 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	648	770	121	
	純資産合計	2,108	1,309	△798	● 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		2,757	2,079	△677	
自己資本比率		75.8%	61.5%		

2025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)

	2024年9月期 通期実績	2025年9月期 通期実績	2025年9月期 内 容
営業活動による キャッシュ・フロー	△661	△755	● 棚卸資産の減少:44 ● 税引前当期純損失:△914 ● 前渡金の増加:△34
投資活動による キャッシュ・フロー	△121	△154	● 定期預金の預入:△131 ● 新オフィス敷金：△23
財務活動による キャッシュ・フロー	838	84	● 新株予約権の行使による株式の発行による収入:83
現金及び現金同等物の増減額	55	△825	
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期末残高	1,816	991	

損益計算書の概要

(単位：百万円)

	2025年9月期 通期実績	2026年9月期 業績予想	増 減	主な増減理由
売上	72	72*	△0	● クラリス社からの技術アクセスフィー収入
売上原価	—	—	—	
販売管理費	981	1,244	262	● 研究開発費の増加 ● 社内体制強化に伴う人件費及び各種関連費用増加
研究開発費	681	898	216	● 脊髄損傷の追加臨床試験費用及び米国開発に関する準備費用増加 ● 声帯癬痕の市販用製剤試作費増加
営業損失	△909	△1,172	△262	
営業外損益	△5	—	5	
経常損失	△914	△1,172	△257	
法人税等	1	1	—	
当期純損失	△916	△1,173	△257	

* 新規提携等に伴う売上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。

2026年9月期 業績予想 – 研究開発費の内訳 –

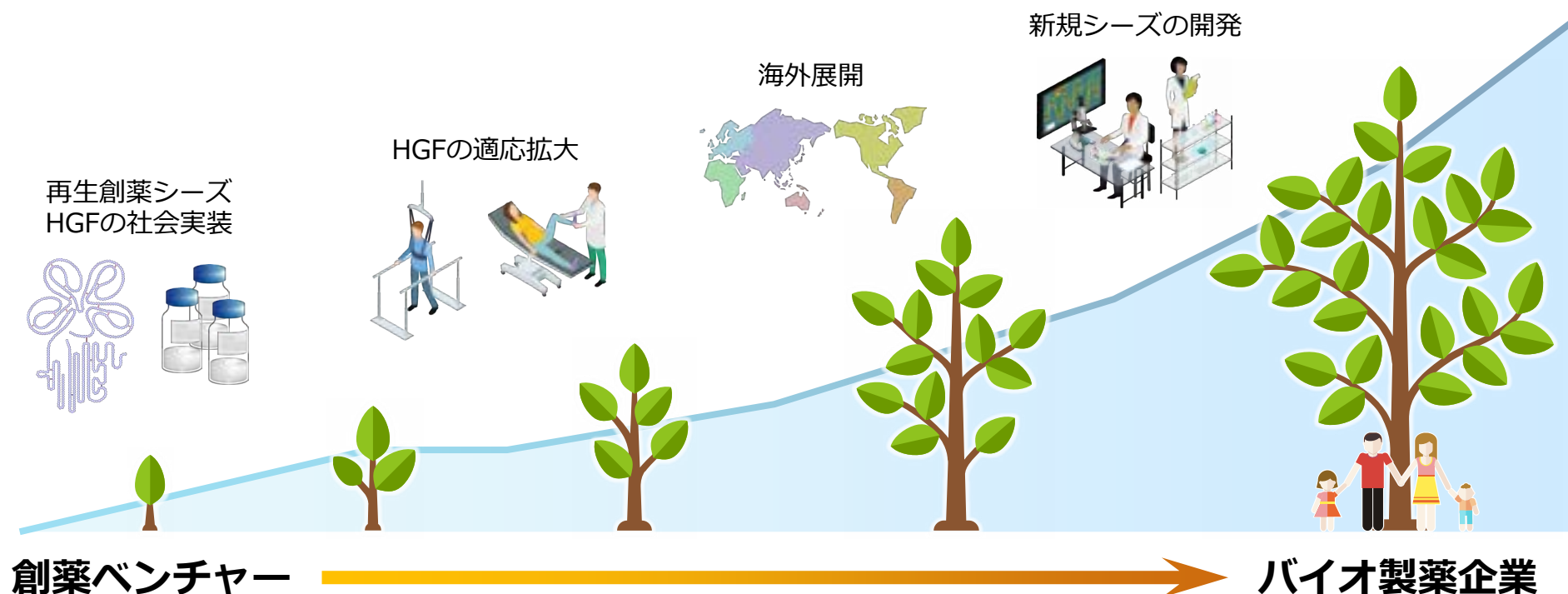
(単位：百万円)

		2025年9月期 通期実績	2026年9月期 予想	2026年9月期 内 容
パイプ ライン	脊髄損傷急性期	282	433	● 国内における追加臨床試験費用 ● 米国開発に伴う各種試験費用
	声帯癒痕	188	238	● 第Ⅲ相試験の治験費用及び製剤の 試作製造費用
	ALS	16	2	
HGF製造開発に係る各種試験		25	56	● 原薬開発に係る各種試験費用
その他		168	167	
研究開発費 合計		681	898	

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。

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



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ティブ、(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)、ゼノジェンファーマ(株)代表取締役社長 (現任)、ゼノアックホールディングス(株)取締役 (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(株)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(株)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(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)、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)、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）

2025年10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 ※ALSでのP2開始（RCT, 106症例, 静注4回）
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 ※日本及びUS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、組入れ終了 ※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、組入れ終了 ※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

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	自己骨髓間葉系 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）

2025年10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