



2026年9月期第1四半期決算について

2026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
- ビジネスモデル
- 成長戦略

- **開発パイプラインの進捗状況**

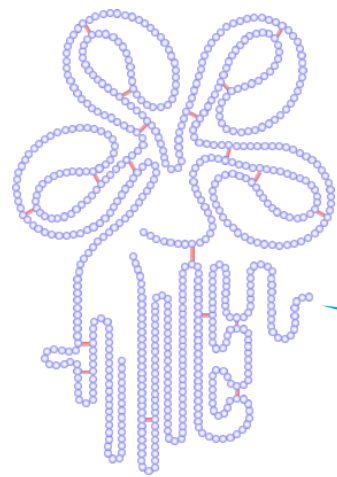
- 2026年9月期第1四半期のトピックス
- 脊髄損傷急性期
- 声帯瘢痕

- **2026年9月期第1四半期決算概況**

- 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



- 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)



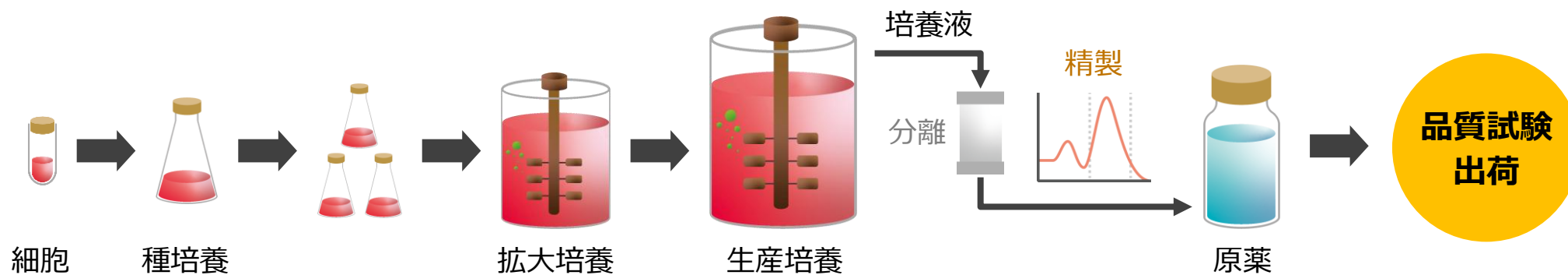
製品のイメージ (医療用医薬品)

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	117百万円（2025年12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12月末時点）

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

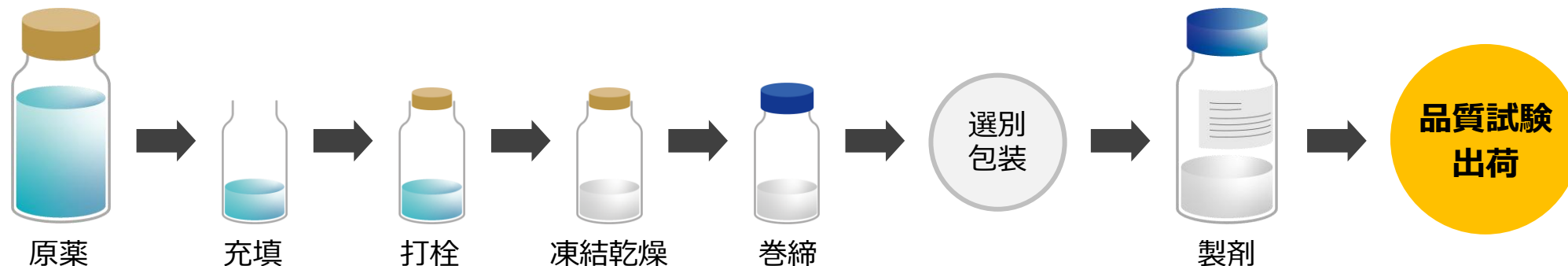
- 細胞を安定的に増殖させ、HGFを高発現させる培養工程
- 不純物を取り除き、HGFの純度を高める精製工程



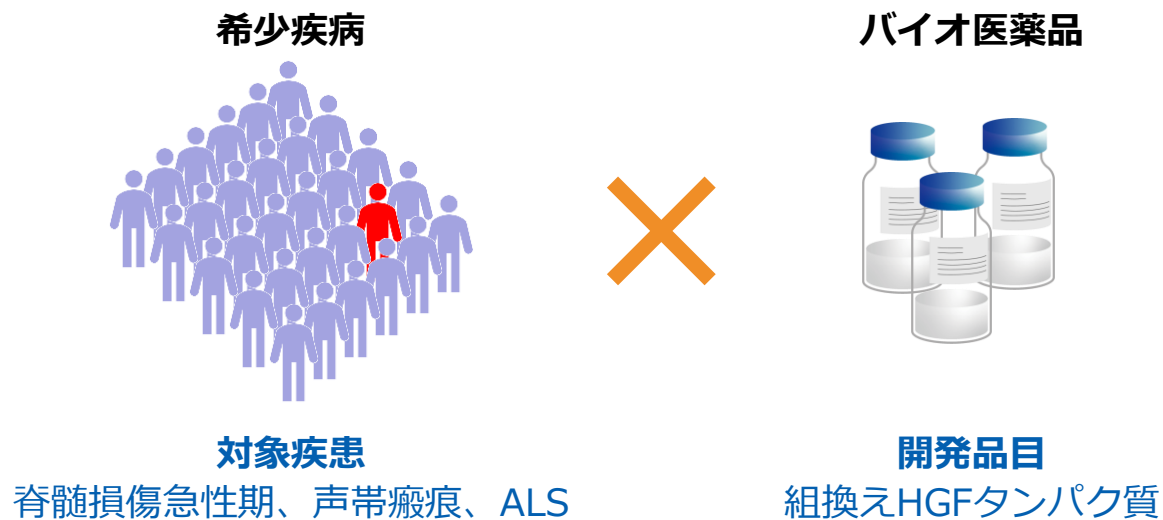
脊髄損傷での承認申請に必要とされる実製造と同様のプロセスで行う試験製造(プロセスバリデーション)終了

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



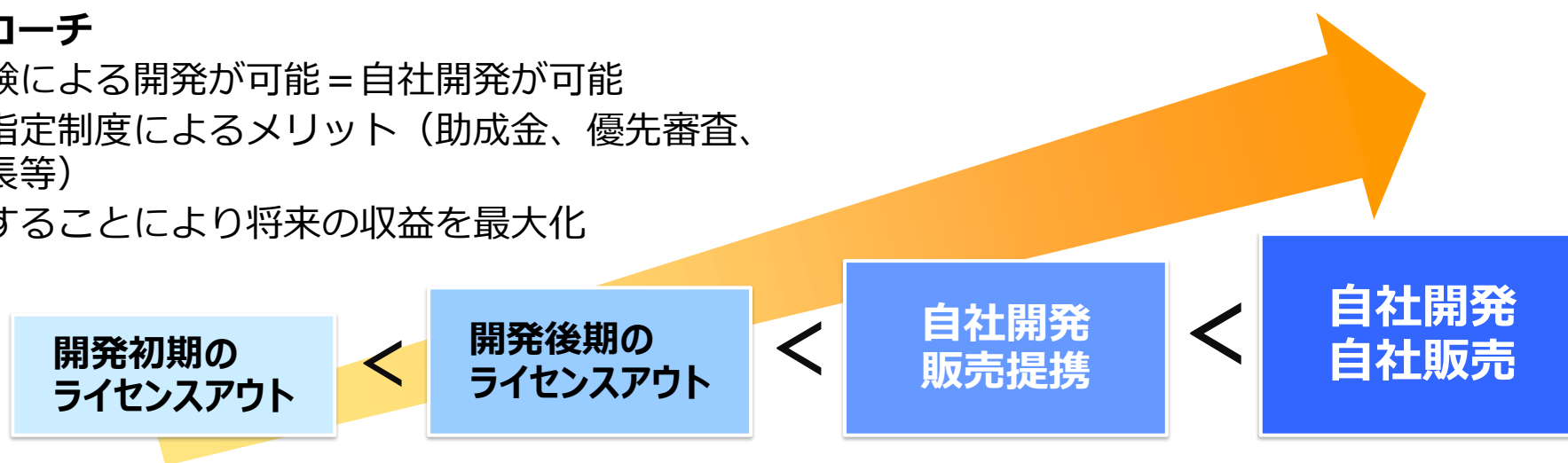
HGF再生治療薬のプラットフォーム：希少疾病を対象とする戦略



- 希少疾病は難治性で医療上の必要性が高く新薬を開発する医学的・社会的意義は大きい
- 患者数が少なく、市場性の点などにより大手製薬企業での開発が進まず有効な医薬品、治療法が少ない
- バイオ医薬品は高薬価になるので事業性は高い

希少疾病へのアプローチ

- 小規模な臨床試験による開発が可能＝自社開発が可能
- 希少疾病医薬品指定制度によるメリット（助成金、優先審査、再審査期間の延長等）
- 自社開発を推進することにより将来の収益を最大化

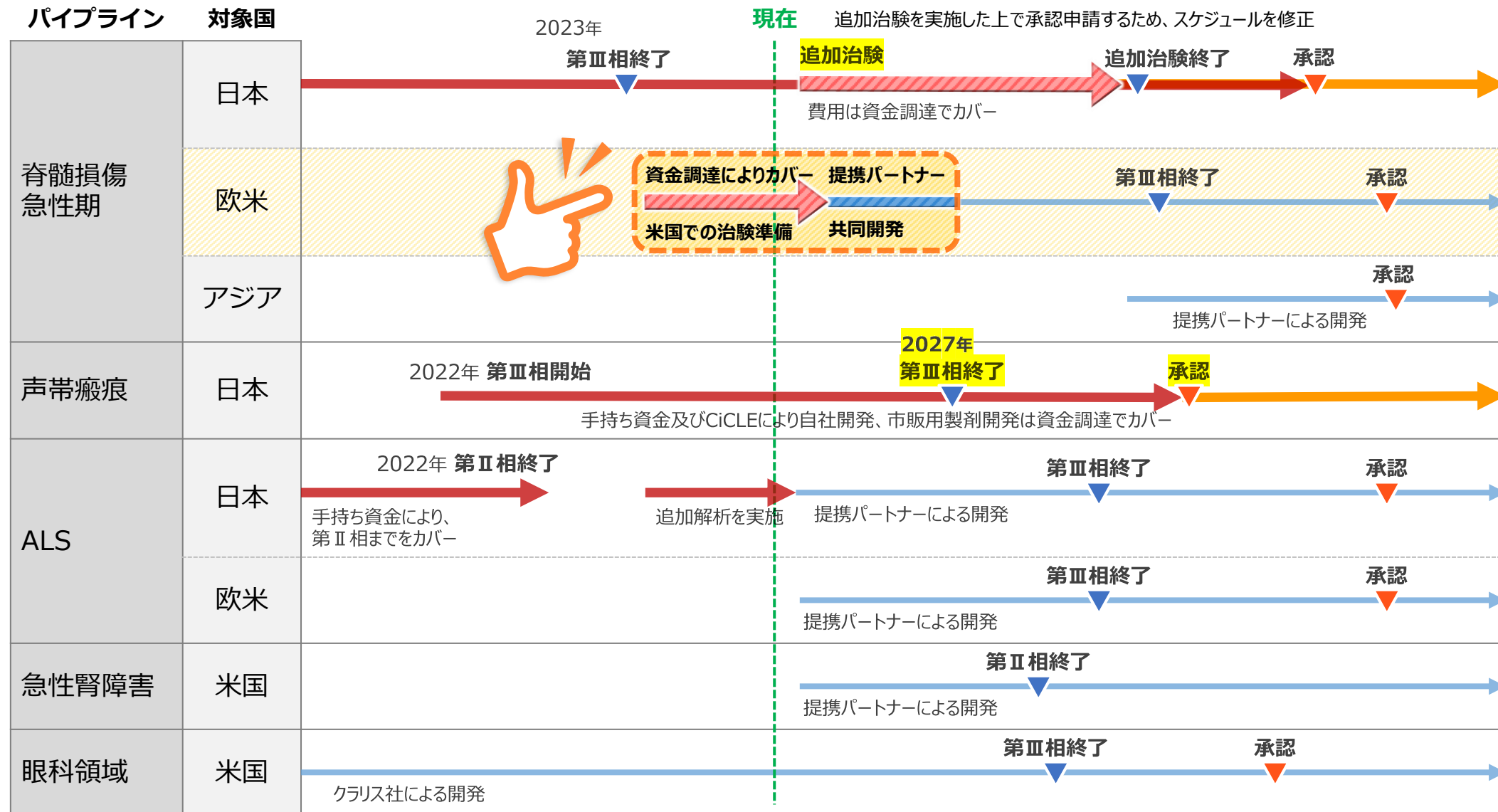


開発パイプラインの概要

- 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**

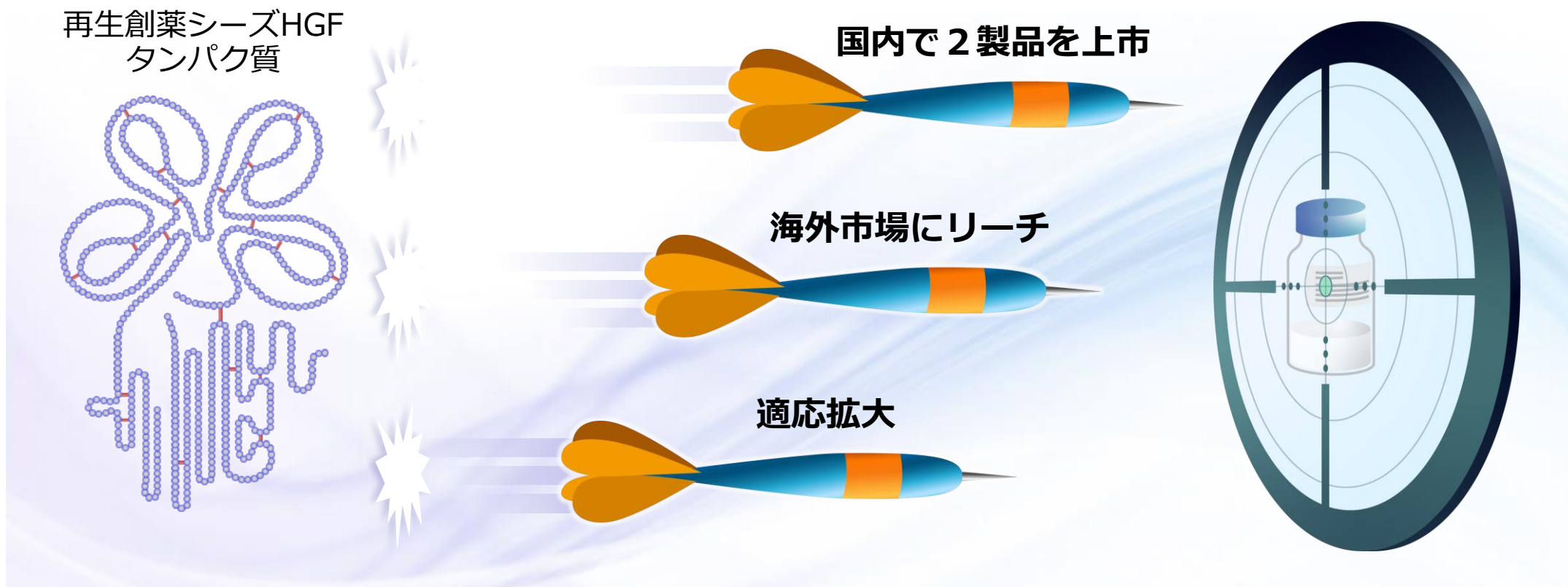
優先 順位	対象疾患	開発段階	臨床試験			申請 承認	販売
			第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相		
1	脊髄損傷 急性期	第Ⅰ/Ⅱ相試験（プラセボ対照二重盲検比較試験） 終了、POC取得済み、希少疾病用医薬品指定取 得済み、第Ⅲ相試験（単群非盲検試験）終了 追加治験計画中	終了		終了 追加治験 計画中	PMDAと 協議中	
2	声帯癬痕	第Ⅰ/Ⅱ相試験（オープンラベル用量漸増試験、 医師主導治験）終了、第Ⅲ相試験（プラセボ対照 二重盲検比較試験）実施中	終了		実施中	症例組入れ 完了	
3	ALS	第Ⅱ相試験（プラセボ対照二重盲検比較試験、医 師主導治験）終了、主要・副次評価項目に統計的 有意差なし、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。

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）

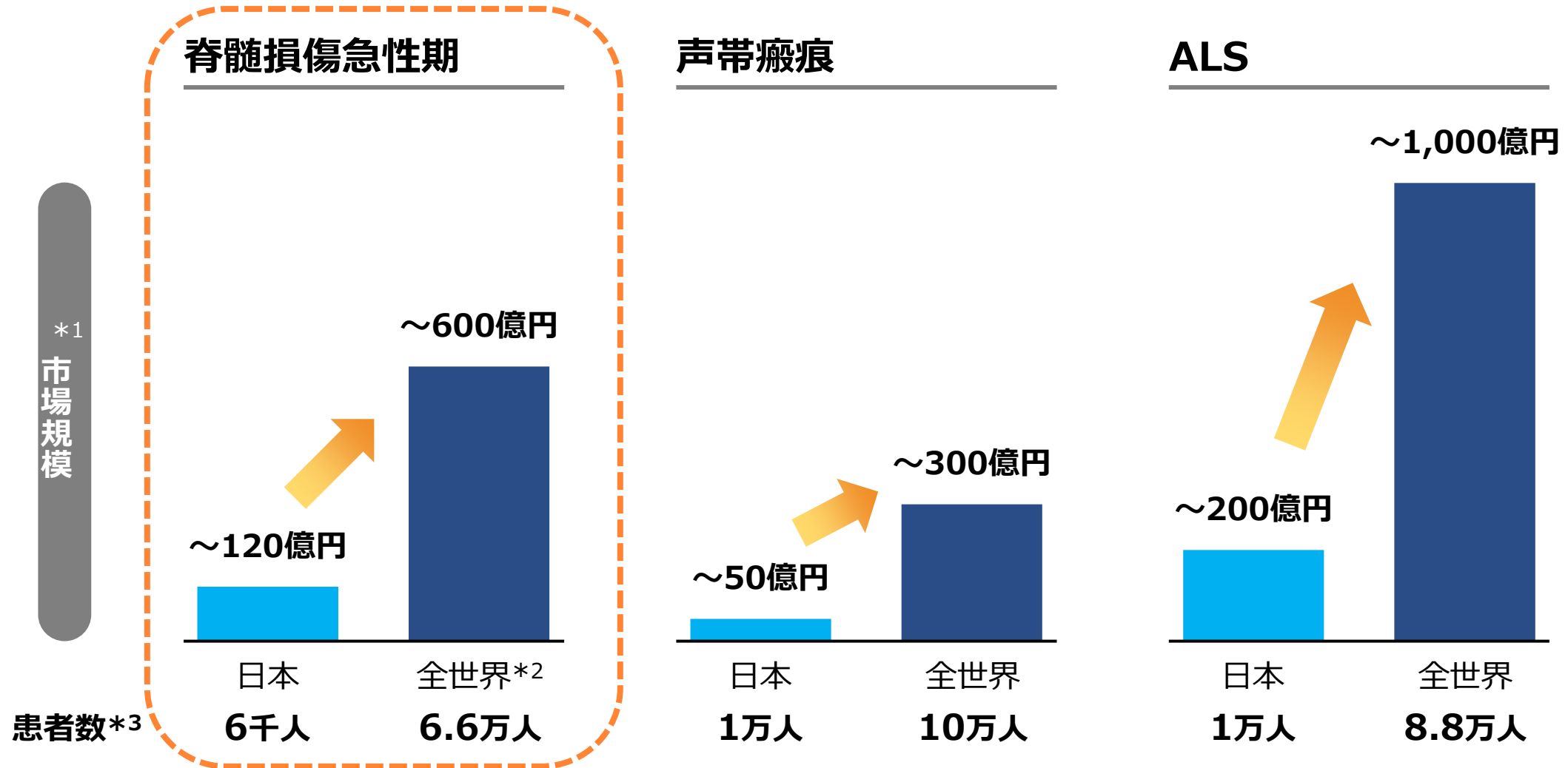
- 声帯癬痕

- 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)

クリングルファーマ Japan HQ


- パイプライン開発
 - ・ 非臨床
 - ・ 臨床
- CMC
- IPアセットマネジメント
- アライアンスマネジメント

Kringle Pharma USA

- 米国／欧州開発
 - ・ 資金調達
 - ・ 臨床開発
- 開発フォーカス
 - ・ 脊髄損傷急性期
 - ・ 線維化疾患



Matt Vogelhuber
President, Kringle Pharma USA

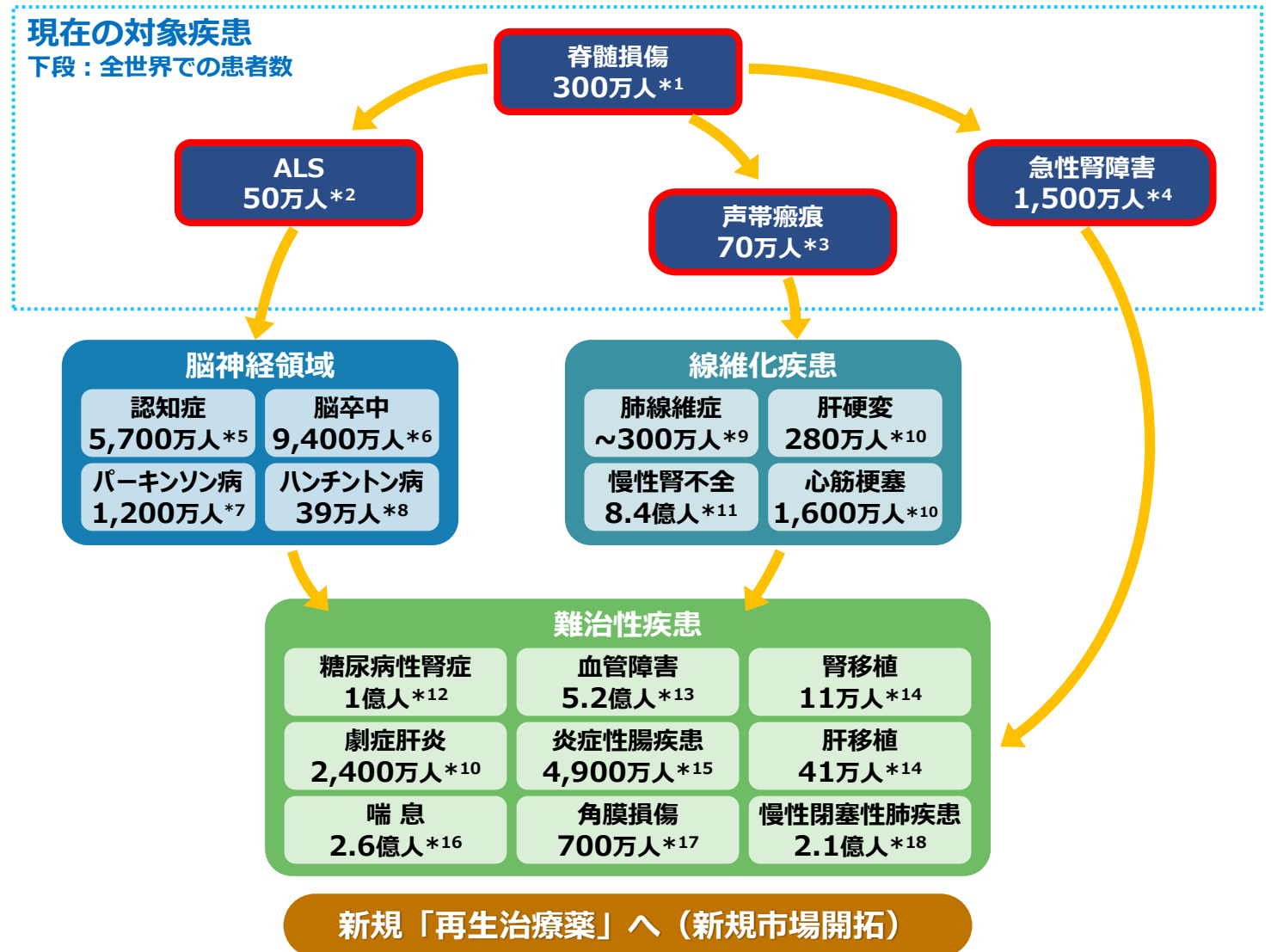
- 
- 米国政府や公的機関からの補助金獲得
 - 事業開発／パートナーリング活動を加速
 - IND（治験申請）に向けた準備活動



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
- 全世界20億人のメディカルニーズへの適応ポテンシャル



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: Estimation of the global prevalence of dementia in 2019 and forecasted prevalence in 2050: an analysis for the Global Burden of Disease Study 2019: Lancet Public Health 2022 Feb;7(2):e105-125
- *6: Global, regional, and national burden of stroke and its risk factors, 1990–2021: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2022: GBD 2021 Stroke Risk Factor Collaborators
- *7: The global rise in Parkinson's disease: a critical analysis of causes and future directions: Front Public Health, 2025 Jun 4;13:1606732
- *8: Prevalence and Incidence of Huntington's Disease: An Updated Systematic Review and Meta-Analysis: Mov Disord. 2022 Dec;37(12):2327-2335
- *9: Incidence and prevalence of idiopathic pulmonary fibrosis: a systematic literature review and meta-analysis: BMC Pulm Med.2025 Aug 7;25(1):378.
- *10: 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)
- *11: Epidemiology of chronic kidney disease: an update 2022: Kidney International Supplements (2022) 12, 7-11
- *12: Epidemiological research on diabetic nephropathy at global, regional, and national levels from 1990 to 2021: an analysis derived from the global burden of disease 2021 study: Front Endocrinol (Lausanne) 2025 Aug 27;16:1647064
- *13: Global Burden of Cardiovascular Diseases and Risk Factors, 1990-2019: Update From the GBD 2019 Study: J Am Coll Cardiol.: 2020 Dec 22;76(25):2982-3021
- *14: INTERNATIONAL REPORT ON ORGAN DONATION AND TRANSPLANTATION ACTIVITIES 2023: Dec 2024
- *15: Global, regional and national burden of inflammatory bowel disease in 204 countries and territories from 1990 to 2019: a systematic analysis based on the Global Burden of Disease Study 2019: BMJ Open 2023 Mar 28; 13(3):e065186.
- *16: Global, regional, and national burden of asthma and its attributable risk factors from 1990 to 2019: a systematic analysis for the Global burden of disease study 2019. Respir Res. 2023;24(1):169.
- *17: 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)
- *18: Global, regional, and national prevalence of, and risk factors for, chronic obstructive pulmonary disease (COPD) in 2019: a systematic review and modelling analysis: THE LANCET Respiratory Medicine Volume 10, Issue 5, P447-458, May 2022

開発パイプラインの進捗状況

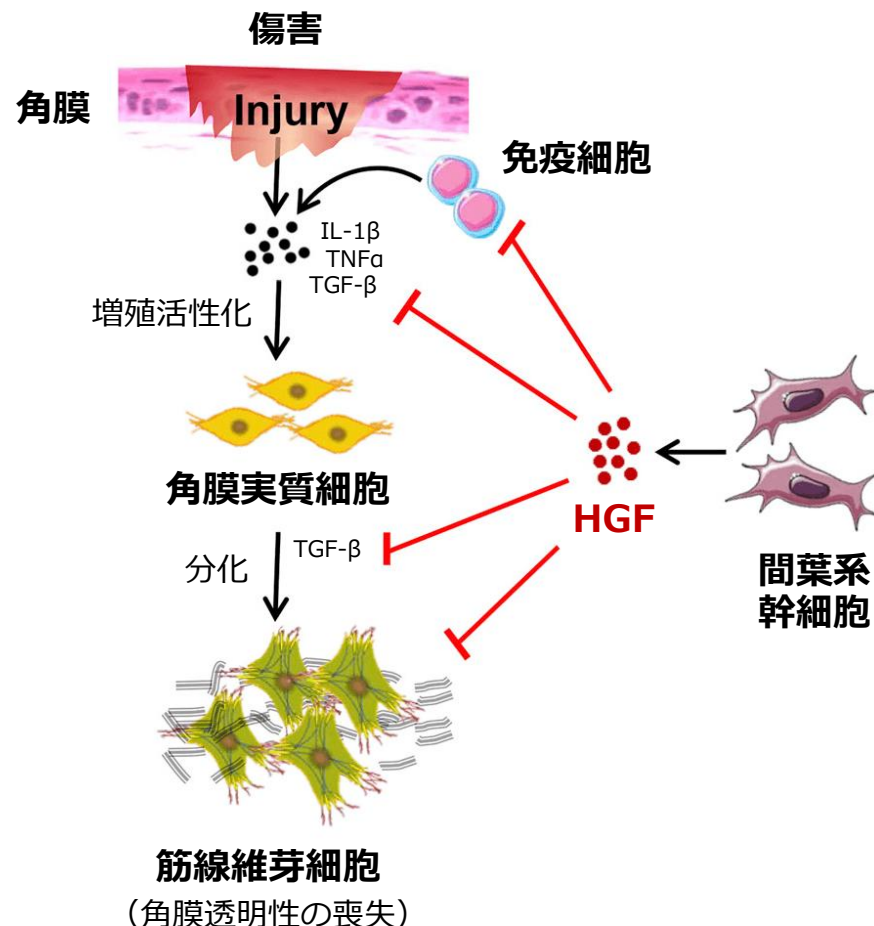
2026年9月期第1四半期の主なニュースリリース（後発事象を含む）

年 月	トピックス
2025年10月	HGF徐放性創傷治療剤の開発に関する京都大学との共同研究開始
2025年11月	米国において子会社「Kringle Pharma USA, Inc.」を設立
2025年11月	脊髄損傷患者の神経学的自然回復を予測する新たなバイオマーカーに関する論文掲載 (慶應義塾大学との共同研究の成果)
2025年11月	声帯癬痕に対するHGFの第Ⅲ相臨床試験：組入れが目標症例数に到達
2025年12月	HGF 研究用試薬の株式会社リプロセルへの供給契約を更新
2025年12月	脊髄損傷急性期を対象とする「oremepерmin alpha」の欧州における希少疾病用医薬品指定に向けた申請
2025年12月	線維性疾患に対するHGFを用いた新規治療剤に関する特許出願
2026年1月	声帯癬痕に対するHGFの第Ⅲ相臨床試験：最終症例の組入れ完了
2026年2月	提携先のクラリス・バイオセラピューティクス社による資金調達

クラリス社による眼科領域でのHGFタンパク質の開発

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)
 - ✓ 当社より、眼科領域に限定してHGFタンパク質の情報提供、原薬供給
 - ✓ 当社は、眼科領域の日本におけるライセンス契約の優先交渉権を保有
- Amendmentによる協業拡大 (2023年9月)
 - ✓ HGFタンパク質の製造法効率化に着手
⇒高発現株作製、試作製造、スケールアップ

クラリス社の資金調達**

- シリーズA \$54.5M (2024年1月、約85億円)
- シリーズB \$93.5M (2025年11月、約146億円)

角膜上皮幹細胞疲弊症に対するグローバル開発を加速

* Mittal et al, Stem Cell Reports 2016.

** PitchBook <https://pitchbook.com/profiles/company/399678-04#overview>
レート換算は1 USD = 157.10円 (2026年2月5日時点) を使用

開発パイプライン

－ 脊髄損傷急性期 －

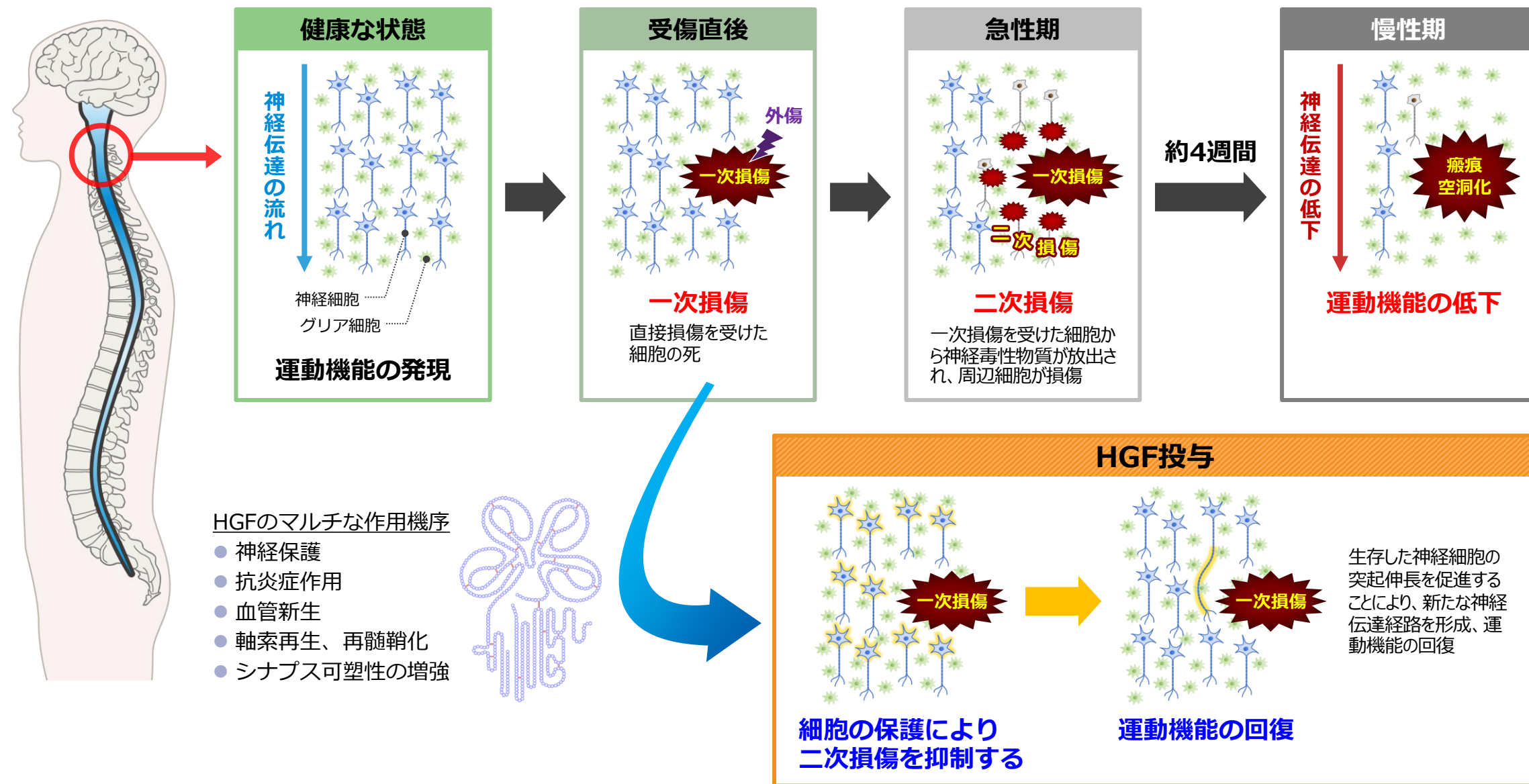
疾患の特徴

- 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

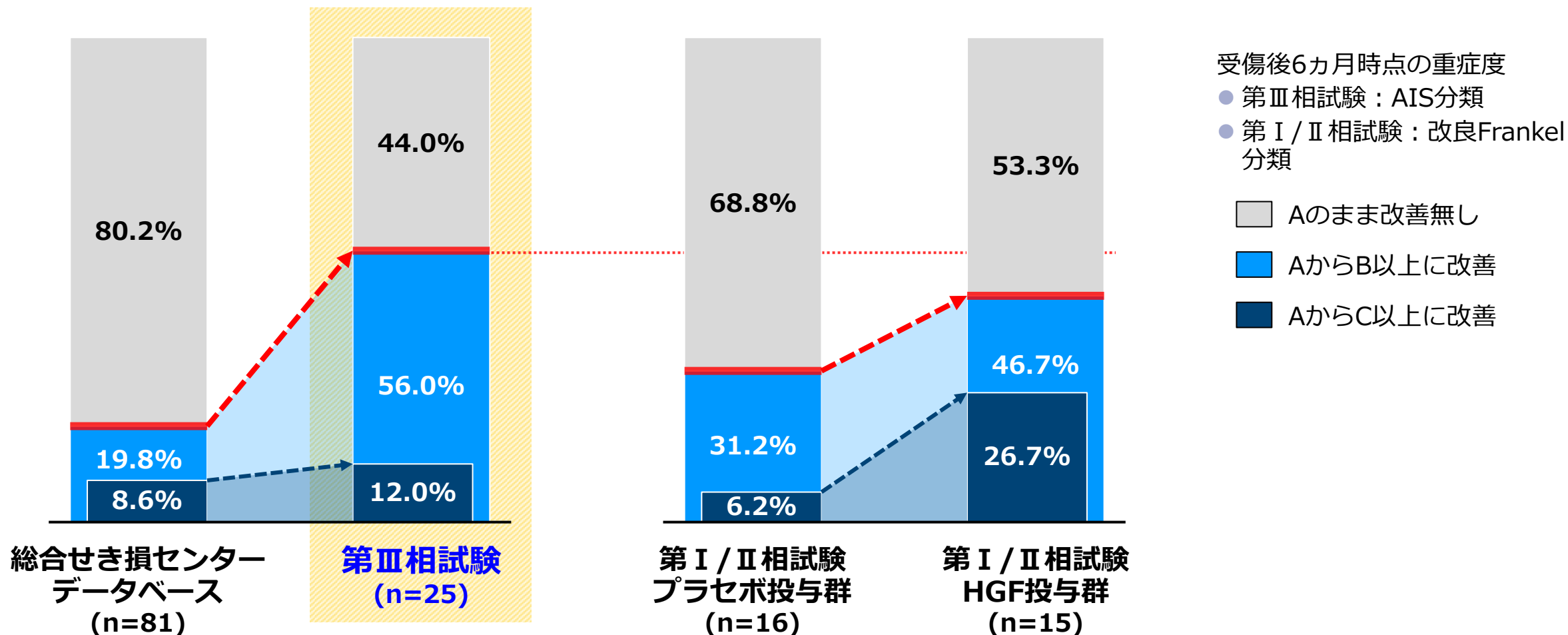
脊髄損傷急性期にHGFに期待する治療効果



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



- **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：**

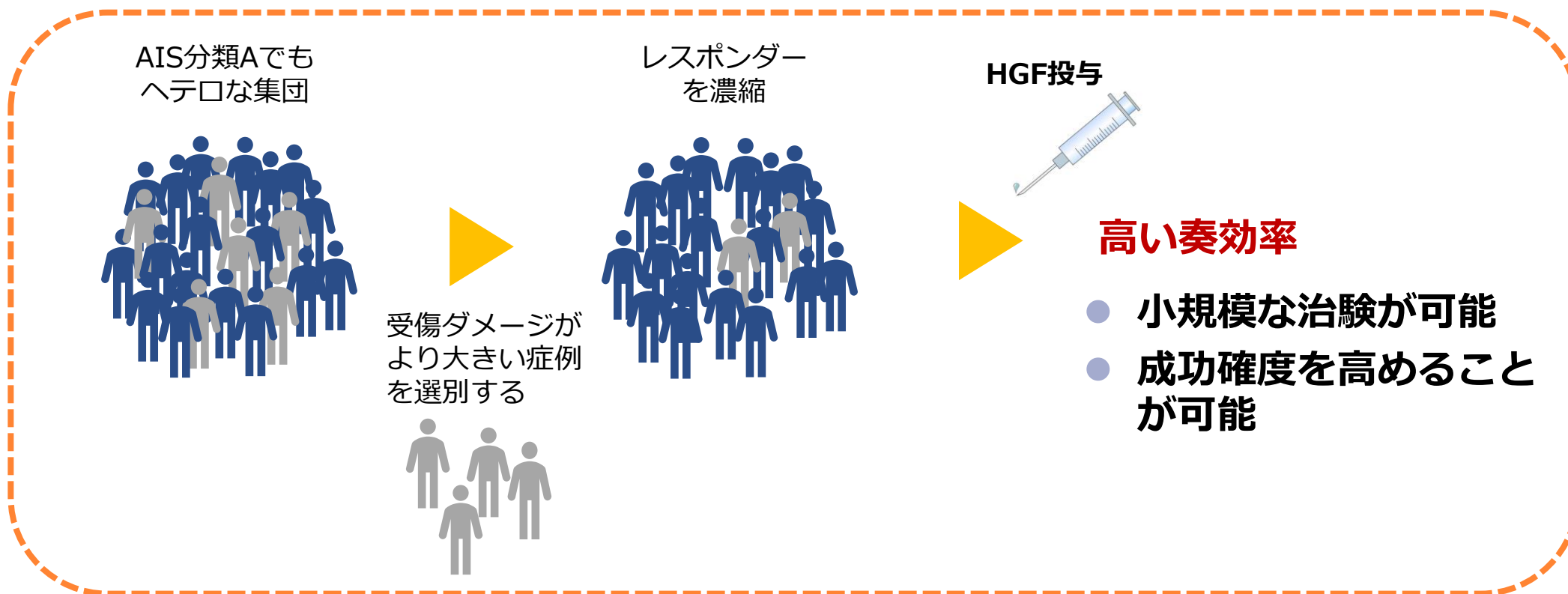
壮年層の交通事故など高エネルギー外傷を伴うより重度な症例が多かった。

→ 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。



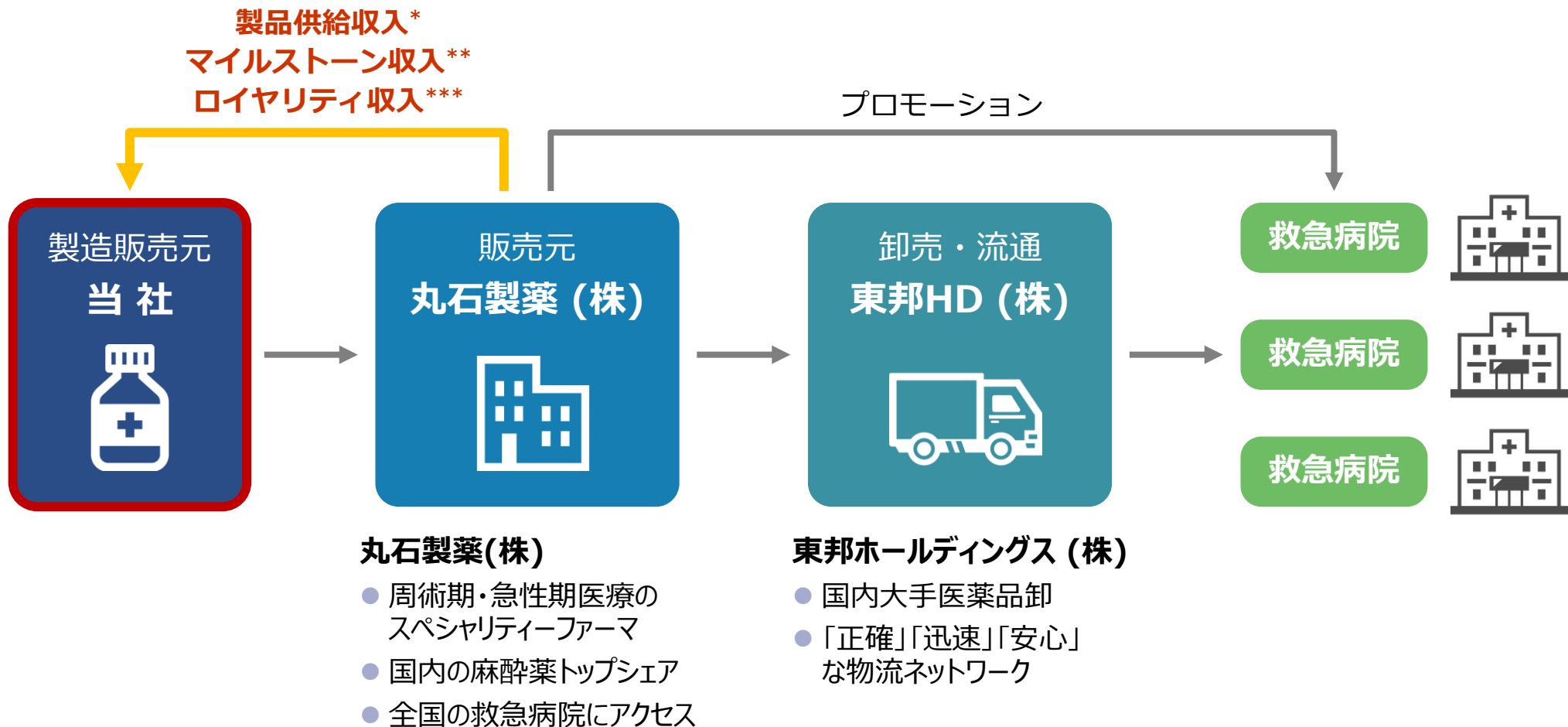
**PMDAとの協議の結果、追加の臨床試験を実施し
有効性のデータを取得した上で承認申請を行うこととなった。**

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

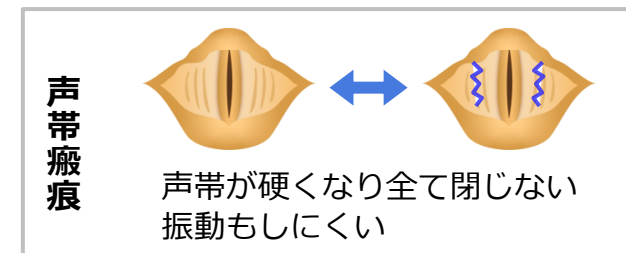
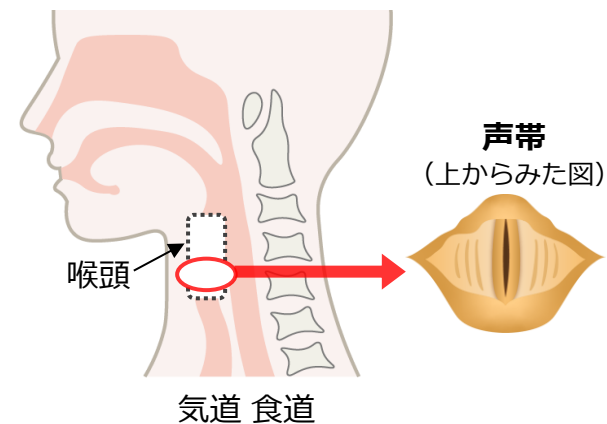
－ 声帯癒痕 －

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*：国内新患者数は約350人/年、推定約1万人（日本）、10万人（先進国）
- 有効な治療法はない



* 出典：日本喉頭科学会 声帯癒痕の疫学調査および診断基準の作成のためのワーキンググループ, 声帯癒痕の疫学調査のためのアンケート調査報告書, 喉頭34：49～50, 2022.
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。

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。

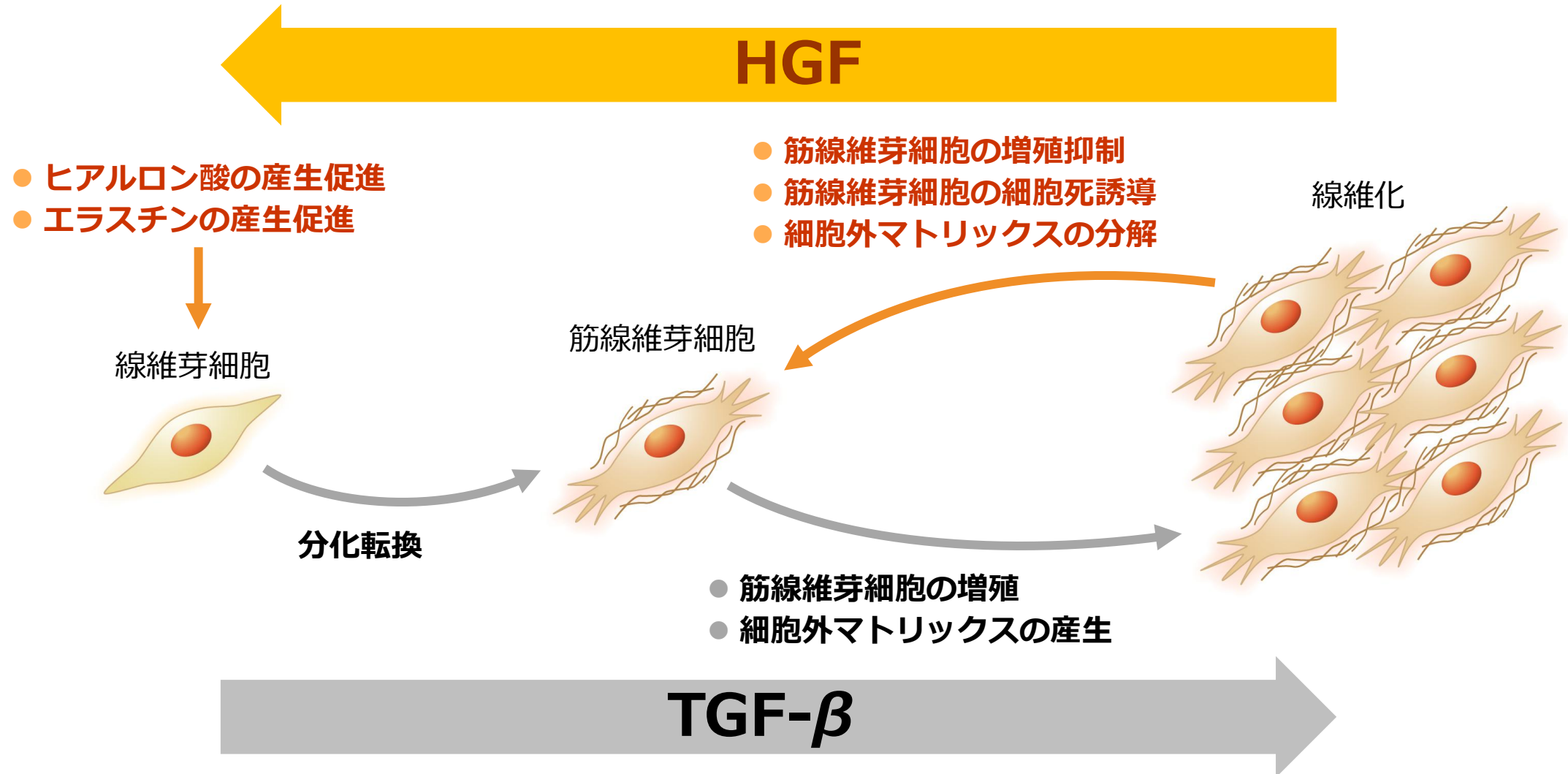
卒業式で返事ができるか、不安。

挨拶しない人だと思われのが辛い。

「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

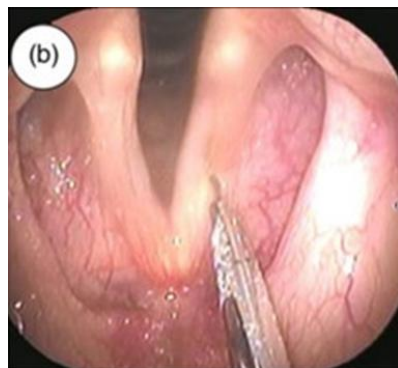
安全性を確認し、有効性評価指標を探索する試験

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



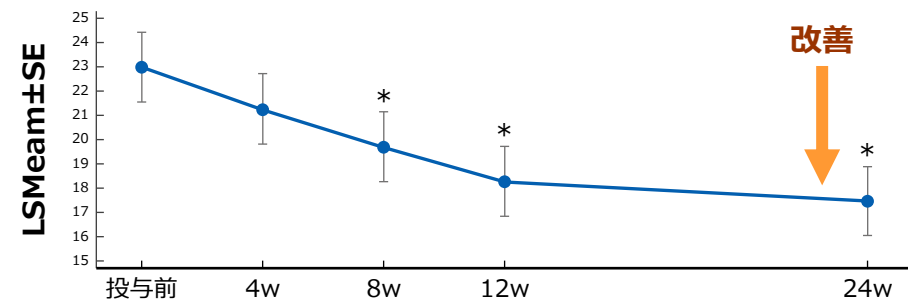
投与方法：

喉頭注射針 (a) を用いて
声帯局所に注射する (b)



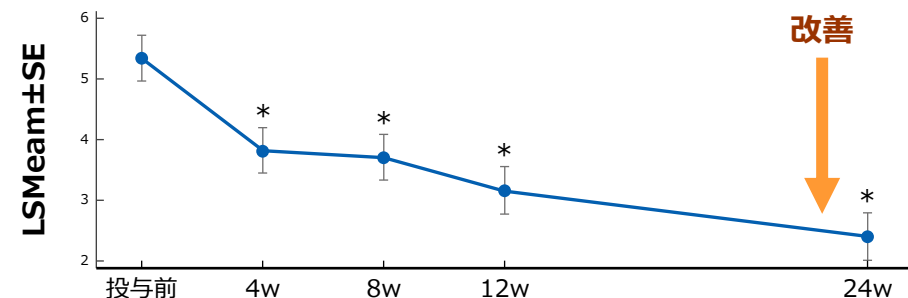
VHI-10 (被験者による主観的評価)

*P<0.05



GRBAS (第三者による聴覚的評価)

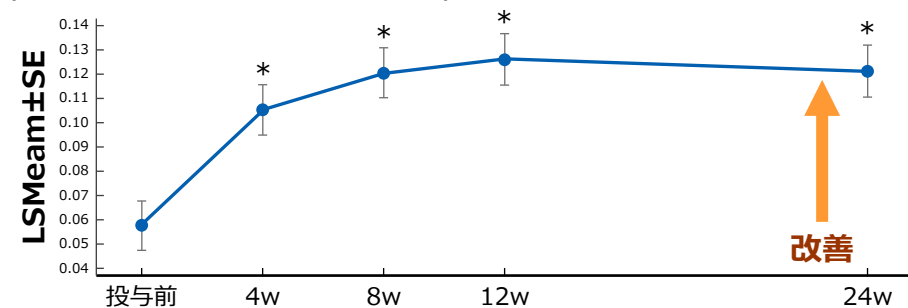
*P<0.05



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.

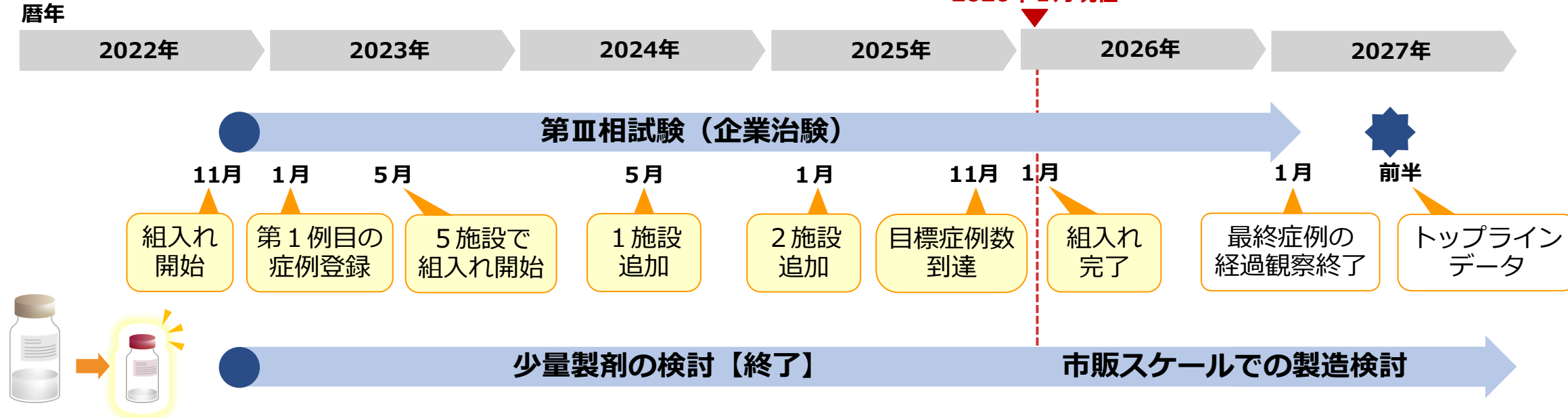
声帯癬痕 第Ⅲ相試験（医薬品開発の最終段階）

組入れ
完了

- 試験デザイン： 多施設共同ランダム化試験
- 登録症例数： **65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）

2026年1月現在

暦年



* 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。

2026年9月期第1四半期決算概況

2026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)

	2025年9月期 第1四半期	2026年9月期 第1四半期	2026年9月期第1四半期 内 容	2026年9月期 通期業績予想
売上	18	18	● クラリス社からの技術アクセス フィー	72*
売上原価	—	—		—
販売管理費	230	218		1,244
研究開発費	161	129	● 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	898
営業損失	△212	△199		△1,172
営業外損益	△0	△0		—
経常損失	△212	△200		△1,172
特別損益	—	△1		—
法人税等	0	0		1
四半期純損失	△212	△201		△1,173

* 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。

2026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

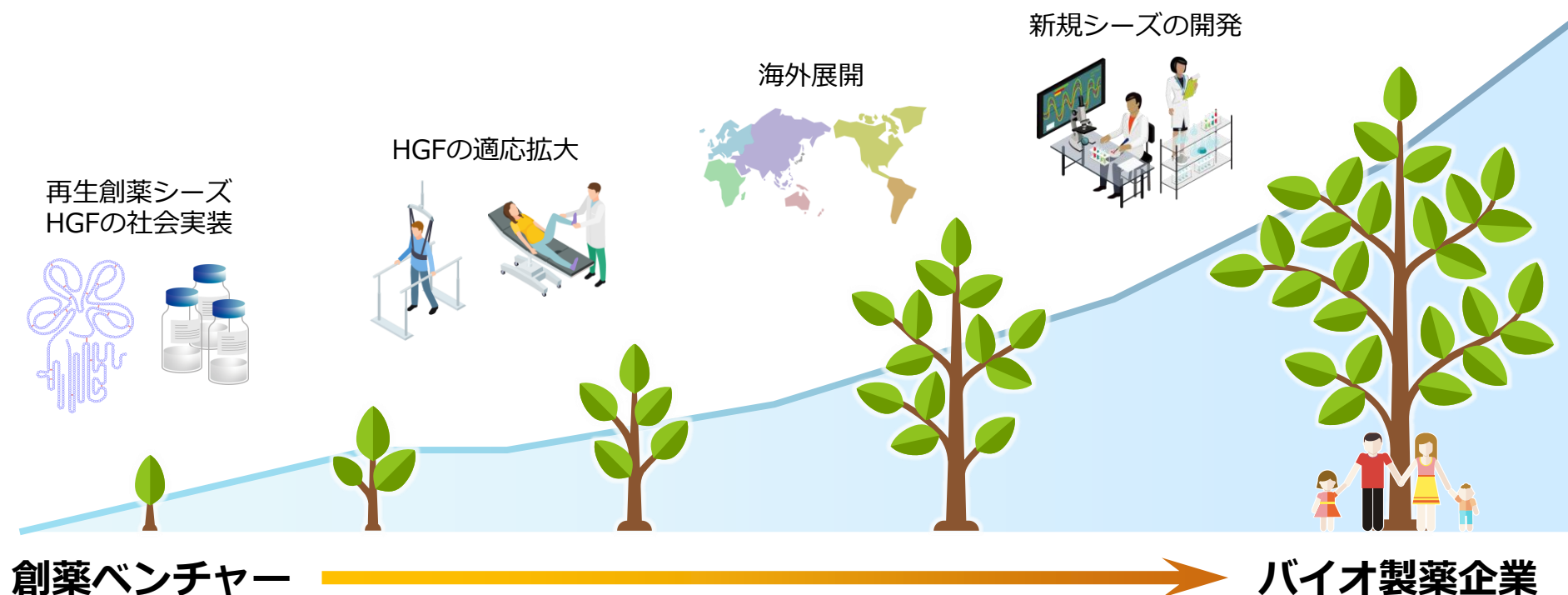
(単位：百万円)

	2025年9月期 期末	2026年9月期 第1四半期末	増 減	主な増減理由
流動資産	2,055	1,965	△89	● 現預金の減少
現預金	1,619	1,511	△107	● 研究開発費等の支出による減少
固定資産	23	24	0	
資産合計	2,079	1,990	△88	
流動負債	109	103	△6	
固定負債	660	666	5	
負債合計	770	769	△0	
純資産合計	1,309	1,220	△88	● 当四半期純損失の発生による減少
負債純資産合計	2,079	1,990	△88	
自己資本比率	61.5%	59.7%		

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

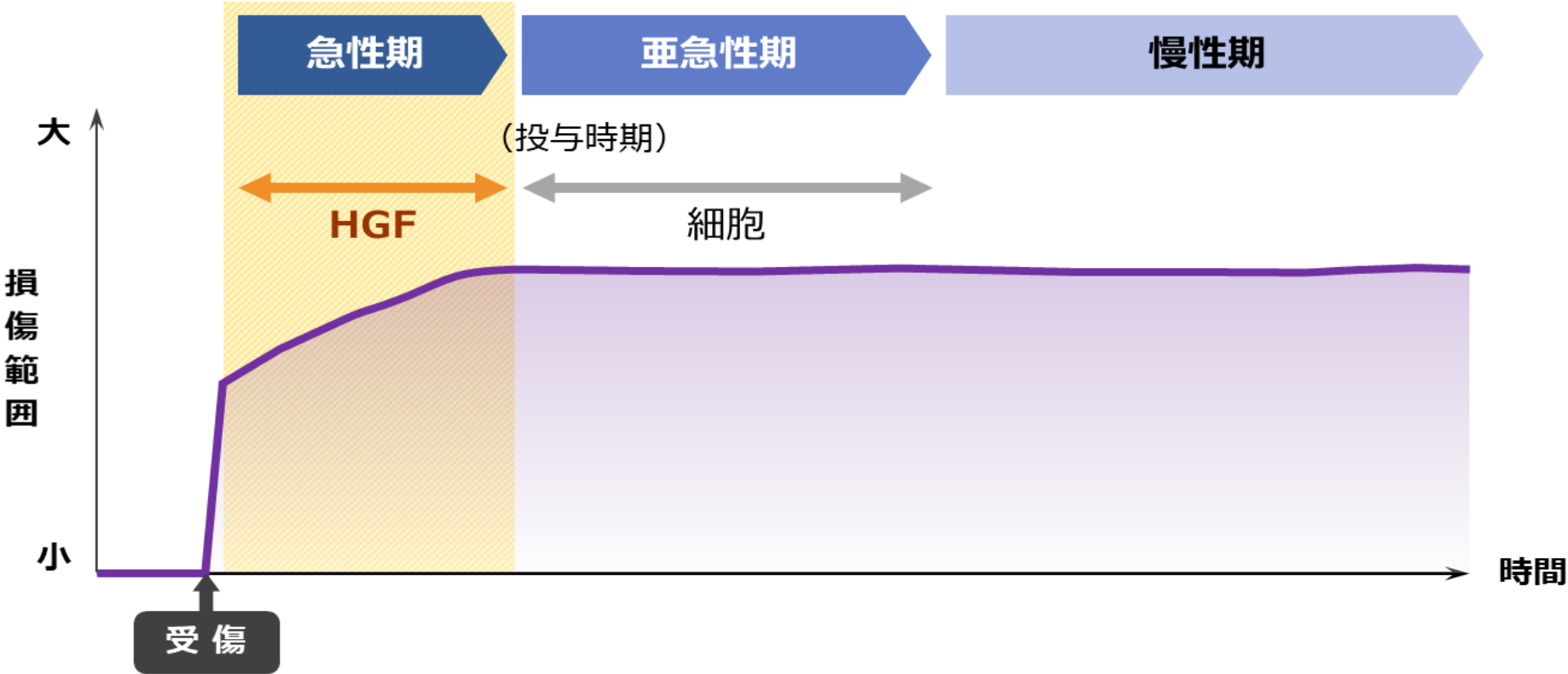
北浜法律事務所、(株)大阪証券取引所に出向、岩谷・村本・山口法律事務所共同パートナー (現任)、akippa(株)社外監査役 (現任)、2018年12月より当社社外監査役 (現任)

脊髄損傷の主な競合品（第Ⅱ相以上）

2025年12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⇒本承認申請	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で第Ⅱ相開始（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、米国でオーファン指定
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 ※Suspended (ClinicalTrials.gov)
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	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 ※中国第Ⅱ相で効果と安全性確認済み

脊髄損傷治療に関するHGFタンパク質と細胞治療薬の比較



	HGFタンパク質	細胞治療薬
受傷後の使用	速やかに使用可	待機時間が必要
受診機関	全国の救急病院	限定的
費用	比較的安価	高価

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（検索キーワード：vocal fold, vocal cord, dysphonia, VHI）

ALSの主な競合品（当社以外は第Ⅲ相以上の主なもの）

2025年12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	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)
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(2024年12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
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
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 ※大塚製薬とのライセンス契約締結(2024年11月)
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