

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

ケイファーマ

4896 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2025年3月26日(水)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<https://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. iPS 創薬事業の有望パイプライン	01
2. 再生医療事業の有望パイプライン	01
3. 業績動向	02
■ 会社概要及び事業内容	03
1. 会社沿革	03
2. 事業内容	04
■ 開発パイプラインの動向	06
1. iPS 創薬事業	06
2. 再生医療事業	08
■ 業績動向	12
1. 2024年12月期の業績実績	12
2. 2025年12月期の業績見通し	13
3. 財務状況	14
■ 今後の成長戦略	15

■ 要約

iPS 細胞を活用した ALS 治療薬、脊髄損傷治療の開発が進む

ケイファーマ<4896>は、2016年に慶應義塾大学発のバイオベンチャーとして設立された。iPS細胞を活用した創薬及び再生医療事業を展開しており、脳・神経領域におけるアンメットメディカルニーズの高い疾患を対象に研究開発を行っている。iPS創薬事業で6本、再生医療事業で5本のパイプラインを走らせている。導出実績としては、ALS（筋萎縮性側索硬化症）治療薬候補品である「KP2011」の日本を対象としたライセンス契約を2023年にアルフレッサファーマ（株）と締結している。

1. iPS 創薬事業の有望パイプライン

iPS創薬とは、患者から採取した細胞を用いて疾患特異的iPS細胞を作製する技術である。この技術により、1,200種類以上の既存治療薬ライブラリを活用したスクリーニングが可能となり、薬効の高い候補化合物を効率的に発見できる。さらに、ドラッグリポジショニング（既存薬開発）の手法を活用した創薬事業として展開している。現在、最も開発ステージが進んでいるパイプラインはALS治療薬であるロピニロール塩酸塩（以下、ロピニロール）で、医師主導の第1/2a相臨床研究で良好な結果を得たことを受け、導出先のアルフレッサファーマにて第3相臨床試験の準備を進めている段階にある。順調に進めば2028～2029年にも上市が見込まれている。国内の市場規模は250億円程度だが、全世界では1.3兆円を上回る規模となるため、海外でもライセンス活動を積極化しており、今後の導出が期待される。また、2025年内にFTD（前頭側頭型認知症）やHD（ハンチントン病）を適応疾患とした第1/2相臨床試験を開始すべく準備を進めている。

2. 再生医療事業の有望パイプライン

再生医療事業では、iPS細胞から分化誘導した神経前駆細胞を脊髄損傷や脳梗塞の患者に移植することで疾患部の神経再生を促し、四肢機能の回復を目指す医療技術の開発を進めている。神経領域は再生が難しい分野とされてきたが、長年の基礎研究や同社独自の研究開発力をもとに神経再生技術の実用化を目指している。最も進んでいるパイプラインは亜急性期脊髄損傷を対象とした「KP8011」で、医師主導臨床研究の結果が、2025年3月の再生医療学会で発表された。細胞移植後1年の経過観察を経て4症例中すべての症例で安全性が確認され、有効性についても2例で運動機能の改善（1例は歩行練習、1例は食事ができるまでに回復）が見られた。同社は同結果をもとに企業治験を行うべくPMDAとの協議を進め、条件付き承認申請制度を活用することで2030年前後の上市を目指す。また、同時並行で国内外のライセンス活動も進める予定だ。国内だけで市場規模は750億円と推計されており、今後の動向が注目される。

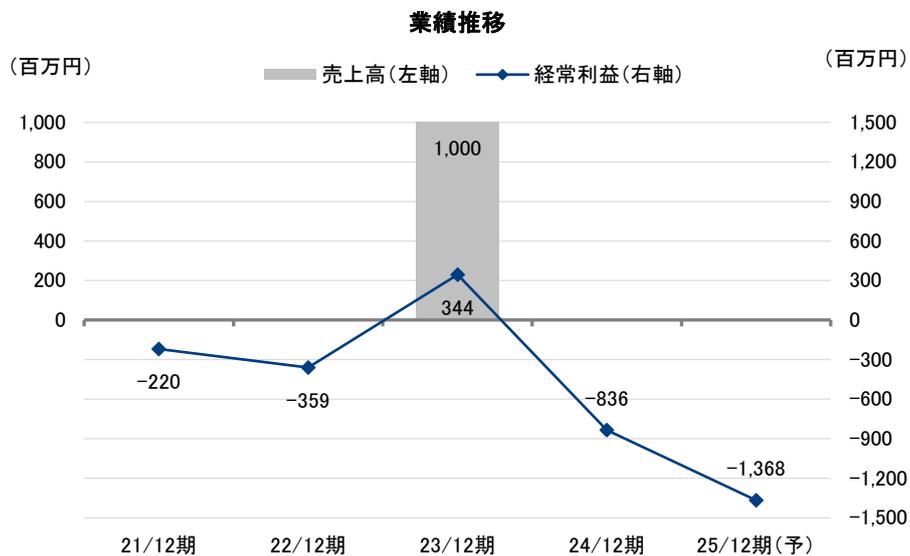
要約

3. 業績動向

2024年12月期の業績は売上高の計上がなく、営業損失836百万円（前期は366百万円の利益）であった。前期はアルフレッサ ファーマからのライセンス契約一時金1,000百万円を計上していたため、営業利益を計上したが、現在は開発段階にあり、契約一時金などの収入がなければ損失が継続する状況となっている。2025年12月期の業績も、売上高の計上は見込まず営業損失1,368百万円を計画している。臨床試験を2本開始するなど研究開発費の増加を見込んでいるほか、人員の新規採用による人件費増を見込んでいる。なお、現在進めているライセンス契約交渉がまとまれば、契約一時金を売上高として計上することになる。2024年12月期末の現金及び預金は2,268百万円となっている。同社としては2年分程度の事業活動資金は確保しておきたい考えで、時期を見て資金調達を行う意向だ。なお、同社は複数の銀行と当座貸越枠の設定（合計12億円）を行っており、迅速に資金調達が行える体制を確保している。

Key Points

- ・ iPS 細胞を活用して創薬・再生医療の研究開発を進める慶應義塾大学発のバイオベンチャー
- ・ ALS 治療薬は 2028 ～ 2029 年頃の上市を見込み、市場規模の大きい難聴治療薬にも注目
- ・ 脊髄損傷を対象とした開発プロジェクトは医師主導治験の結果を受け、企業治験に進む予定
- ・ 2025 年 12 月期は企業治験の開始などもあって研究開発費の増加を見込む



■ 会社概要及び事業内容

iPS 細胞を活用して創薬・再生医療の研究開発を進める バイオベンチャー

1. 会社沿革

同社は、エーザイで長く研究開発に従事していた現代表取締役社長である福島弘明（ふくしま こうめい）氏と、慶應義塾大学医学部教授で脳・神経領域の世界的研究者である取締役の岡野栄之氏、整形外科領域の世界的研究者である取締役の中村雅也氏の3人で2016年に創業した慶應義塾大学発のバイオベンチャーで、「医療イノベーションを実現し、医療分野での社会貢献を果たします」を経営理念として掲げている。

研究開発テーマとしては、岡野氏と中村氏が長らく研究を続けてきた脊髄損傷に対する再生医療の開発に加えて、早期に収益化が見込める創薬事業を同時に進めることにした。2020年にはiPS細胞を活用した医薬品及び再生医療など製品の開発を目的とした共同研究契約を（学）慶應義塾と締結し、2022年には亜急性性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療の治験に向けた共同研究契約も締結した。iPS創薬事業においては、2023年3月にアルフレッサファーマと日本におけるALS治療薬候補である「KP2011」のライセンス契約を締結し、同年6月には（学）北里研究所と難聴治療薬の企業治験に向けた共同研究契約を締結した。また、同年8月には（独）国立病院機構大阪医療センターと慢性期脳梗塞、脳出血及び外傷性中枢神経損傷の再生医療の企業治験に向けた共同研究契約を締結するなど、開発パイプラインの上市に向けて、アカデミアとの連携も活発に進めている。

2023年10月には東京証券取引所グロース市場に株式を上場し、約15億円の資金調達を行った。調達した資金で研究開発、人材投資を進めている。2024年12月末時点の従業員数は17名（前年末比2名増）で、そのうち研究開発人員は11名となっている。

会社沿革

年月	主な沿革
2016年11月	医薬品および再生医療等製品の研究・開発・製造・販売を目的に（株）ケイファーマ設立
2017年4月	（学）慶應義塾と筋萎縮性側索硬化症治療剤および治療用組成物等の特許実施許諾契約を締結
2018年4月	武田薬品（株）湘南研究所（現 湘南ヘルスイノベーションパーク）内に研究所（ケイファーマラボ）を開設
2020年4月	慶應義塾とiPS細胞を活用した医薬品および再生医療等製品の開発を目的とした共同研究契約を締結
2021年3月	慶應義塾と脊髄損傷治療用ニューロスフェア誘導剤及びその使用の特許実施許諾契約を締結
2022年7月	慶應義塾と亜急性性期脊髄損傷に対するiPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療の治験に向けた共同研究契約を締結
2023年2月	慶應義塾大学信濃町キャンパス内総合医学科研究棟に「ケイファーマ・慶應 脊髄再生ラボ」を開設
2023年3月	アルフレッサファーマ（株）と日本においてALSの治療薬候補であるKP2011導出に関するライセンス契約を締結
2023年6月	（学）北里研究所と難聴治療薬の企業治験に向けた共同研究契約を締結
2023年8月	（独）国立病院機構大阪医療センターと慢性期脳梗塞、脳出血および外傷性中枢神経損傷の再生医療の企業治験に向けた共同研究契約を締結
2023年10月	東京証券取引所グロース市場に株式を上場

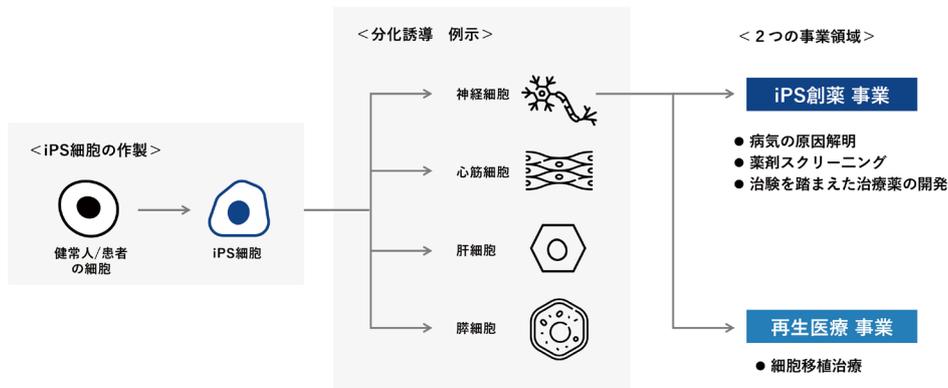
出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

医薬品、再生医療等製品を開発し、製薬企業に導出して収益を得る

2. 事業内容

同社が開発ターゲットとする疾患は、いまだ有効な治療法が確立されておらず患者からも開発が強く望まれているアンメットメディカルニーズの高い分野で、中枢神経疾患領域を中心に開発を進めている。事業としてはiPS細胞を活用したiPS創薬事業と再生医療事業の2つの事業を展開し、アカデミアと連携しながら研究開発を推進するとともに、バリューチェーンを構成する各企業とも連携して事業活動を推進している。

iPS細胞の医療応用への可能性



出所：決算説明資料より掲載

ビジネスモデルとしては、開発パイプラインに関して、製薬会社などのパートナーと協力し、基礎研究・探索研究から企業治験の各段階において、共同研究開発を行い、または将来の製造・販売に関する権利の一部または全部を譲渡するライセンス契約を締結する。この契約により、契約一時金や開発の進捗に応じたマイルストーン収入、さらには上市後の販売額に応じたロイヤリティ収入や販売達成額に応じた販売マイルストーン収入などをパートナーから受領する形となる。

同社の強みは、中枢神経疾患領域において、世界的権威を持つ自社の研究者が長年にわたり蓄積した基礎研究をもとに開発を進めている点にある。特に、iPS細胞から神経細胞へ適切かつ効率的に分化誘導する技術や、創薬に適した表現型※を構築するためのノウハウ・技術に優れている。さらに、再生医療等製品として神経細胞に分化誘導し移植するためのノウハウや技術においても、世界最先端の水準にあるとされ、同社の強みとなっている。

※ 薬物の候補となる化合物を細胞などに加えることで、対象とする疾患に関連して起きる現象。

(1) iPS創薬事業

iPS創薬とは、患者から採取した細胞から疾患特異的iPS細胞を作製して神経細胞に分化誘導し、1,200を超える既存薬のライブラリを使ってin vitro※スクリーニングによって複数の表現型に対して効果が見込める候補化合物を絞り込む創薬手法を指し、同社によると世界でも初の試みとなる。同手法を用いることで候補化合物を効率的に探索できるほか、表現型を使ってスクリーニングを行うことで作用機序の解析も進めやすくなる。

※ 試験管や培養器の中で人や動物の細胞を用いて、体内と同様の環境を人工的に作り、薬物の反応を検出するもの。

会社概要及び事業内容

また、iPS 創薬の手法は従来の創薬手法と異なり、前臨床段階での動物の疾患モデルでの評価を介さず、直接的にヒトの病態を反映した細胞を活用していることから、従来の創薬開発プロセスよりも短期間で行うことが可能な点が特徴となっている。さらには、他の疾患のために開発された医薬品を新しい疾患の治療薬として開発を行うドラッグリポジショニング（既存薬再開発）であるため、ヒトでの安全性については既に確認済みであることから、研究開発費用や開発期間について大幅に低減または短縮できる可能性がある点も特徴と言える。なお、既存薬を使うことになるため、特許期限切れとなっている既存薬の用法特許を取得または申請して開発を進めている。

iPS 創薬で解決できる創薬の課題

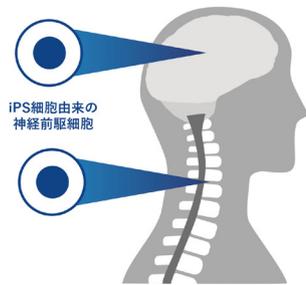


(2) 再生医療事業

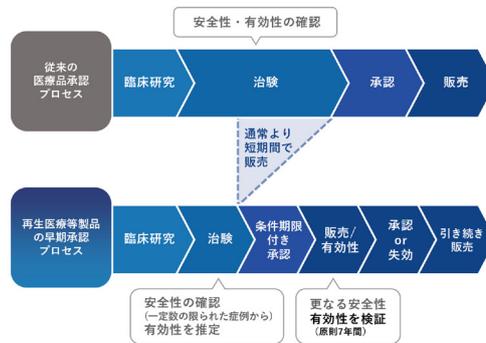
再生医療事業では、脊髄損傷などの神経損傷疾患に対し、他家由来の iPS 細胞から分化誘導した神経前駆細胞を移植することで、損傷部位の治療を目指す再生医療の研究開発を行っている。自家由来の iPS 細胞ではなく、他家由来 iPS 細胞で開発を進めているのは、汎用性や市場性が高いと判断したためだ。iPS 細胞を用いた神経再生の開発を進めているのは、同社によれば世界でも同社が初めてである。再生医療等製品は、一定数の症例から安全性の確認と有効性が推定される治験結果が得られた場合は、条件期限付きで承認され、上市後に一定の症例数をもって有効性の検証が行われる（原則7年間）早期承認制度がある。同社も同制度を活用して上市を目指す。

再生医療事業の概要

(左) iPS 細胞による人体機能回復の実現へ



(右) 薬機法の改正を踏まえ、早期承認制度で再生医療の早期実用化が現実的に



注) 早期承認プロセスの適用を受けるためには所定の要件を充足する必要がある

出所：決算説明資料より掲載

■ 開発パイプラインの動向

ALS 治療薬は 2028 ~ 2029 年頃の上市を見込み、 大規模市場の難聴治療薬にも注目

1. iPS 創薬事業

iPS 創薬事業では 6 本の開発パイプラインがあり、このうち最も先行しているのが ALS 治療薬 (KP2011) だ。国内ではライセンス先のアルフレッサ ファーマが第 3 相臨床試験の準備を進めており、海外市場では国内外の製薬企業とライセンス交渉を進めている段階にある。また、FTD 治療薬 (KP2021) は国内で、HD 治療薬 (KP2032) は海外で第 1/2 相臨床試験の準備を進めており、2025 年内の開始を目指している。そのほか、脳・神経領域の難病を対象とした新たなパイプラインも、2025 年内に 1 ~ 2 件追加する予定である。

iPS 創薬事業の開発パイプライン

開発コード	適応疾患	開発ステージ	共同研究先	導出先 (対象地域)	対象患者数 / 市場規模
KP2011	ALS (筋萎縮性側索硬化症)	Ph1/2a 医師主導 治験完了	慶應義塾大学	アルフレッサ ファーマ (日本)	世界主要国 13.8 万人 / 1.3 兆円*
KP2021	FTD (前頭側頭型認知症)	前臨床研究中	自社	-	日本 1.2 万人 / 300 億円
KP2032	HD (ハンチントン病)	前臨床研究中	自社	-	北米 3.3 万人 / 3,150 億円
KP2041	FD (フェリチン症)	基礎 / 探索研究段階	自社	-	-
KP2051	NHD (那須ハコラ病)	基礎 / 探索研究段階	自社	-	-
KP2061	難聴	基礎 / 探索研究段階	北里大学	-	国内 1,200 万人 / 6 兆円

※ 同社が用途特許を取得または申請している日本、北米、欧州、インド、中国。

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

(1) ALS 治療薬 (KP2011)

ALS 治療薬は慶應義塾大学が iPS 創薬手法によって見出したパーキンソン病治療薬のロピニロール (製造元：英グラクソ・スミスクライン <GSK>) をドラッグリポジショニングによって ALS 治療薬として開発を進めているものである。

開発パイプラインの動向

ALSは神経変性疾患の一種で、運動ニューロン（運動神経細胞）が何らかの原因により障害されることにより発症する。徐々に全身の筋肉が麻痺し、最終的には自発呼吸もできなくなり、死に至る。発症からの平均生存期間は3～5年、発症1年後の生存率は約90%、10年後で10～20%と言われている。根治療法は存在せず、症状の進行を遅らせる複数の治療薬が承認されているものの、依然として多くの機関で開発が進められているアンメットメディカルニーズの高い疾患である。患者数は世界で約33万人、国内で約1万人であり、国内ではオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）申請中※となっている。現在、同社で用途特許を取得している日本、欧州、カナダ、インド及び特許申請中の米国、中国における対象患者数は合計13.8万人、治療薬の年間規模は1.3兆円を超える規模であり、既存薬を上回る薬効が確認されれば、承認される可能性が高くなる。

※ オーファンドラッグに指定されると、開発経費に使える助成金の交付を得られるほか、PMDAから優先的に承認審査を受けられる。

慶應義塾大学が2018年から2021年にかけて実施した医師主導の第1/2a相臨床試験（ALS患者20例：実薬13例、プラセボ7例、投与期間24週）の結果では、安全性と忍容性が確認されたほか、有効性についても、実薬群はプラセボ群と比較して総合機能評価や日常活動量の低下を抑制し、統計的に一定の有効性が示唆された。さらに、生存期間の中央値は実薬群が50.3週、プラセボ群が22.4週となり、試験期間1年の間にロピニロールがプラセボ群に対して病気の進行を約7ヶ月遅らせる可能性が示された。加えて、最初の6ヶ月間において、筋力低下や活動量の低下がプラセボ群と比較して有意に抑制されたことも明らかとなった。さらに、既存治療薬との比較において4種類の表現型を用いた解析の結果、ロピニロールは既存治療薬に対して有意な改善を示したと報告されている。

こうした良好な結果を受けて、2023年にアルフレッサファーマと日本におけるライセンス契約を締結し、第3相臨床試験はアルフレッサファーマが主導して進めることとなり、現在はPMDAと適宜協議が進められている。被験者の組み入れが順調に進めば、製造販売承認申請が行われた際には、2028～2029年頃の上市が見込まれる。また、海外では複数の製薬企業とライセンス交渉を行うとともに、FDAへのIND申請に向けた事前相談の準備も進めている。

(2) FTD 治療薬 (KP2021)

FTD（前頭側頭型認知症）は、脳の前頭葉と側頭葉が委縮することによって引き起こされる認知症で、米国では認知症患者の10～20%程度がFTDであるとされている。発症年齢は40歳以上で、初期段階では自発性の低下や言語障害が見られ、中期には常同行動や反復行動が現れ、後期には精神機能が低下する。発症から平均6～8年で寝たきり状態になることが多い。現在、根治療法はなく、症状に応じた対症療法が行われており、日本では指定難病に認定されている。日本における患者数は約1.2万人で、治療薬の市場規模は300億円と推定される。

2024年10月に米国で開催された国際学会で候補化合物を複数発表し、そのなかから最有力の化合物の選定が完了している。現在は2025年内に国内で第1/2相臨床試験を開始すべく、PMDAやFTDの専門医師、CRO（開発業務受託機関）などと協議を進めている。なお、用途特許については国内で申請済みとなっている。また、国際学会以降、海外製薬企業からの問い合わせも増えており、ライセンス交渉も進行中だ。

開発パイプラインの動向

(3) HD 治療薬 (KP2032)

HD は遺伝性の神経変性疾患の一種で、特定の遺伝子が変異することで大脳基底核や大脳皮質が変性・委縮し、不随意運動や行動異常、認知障害などの症状を引き起こす疾患である。発症年齢は 30 代が多いが、小児期から高齢まで幅広い。根治療法がなく、症状に合わせた対処療法が行われており、日本では指定難病として認定されている。日本の患者数は 1,000 人弱と極めて少ないが、北米では患者数が 3.3 万人、市場規模で 3,150 億円と推計されている。このため、臨床試験は北米で進める可能性がある。

2024 年 10 月に米国で開催された国際学会にて候補化合物を発表し、その後、最有力候補を選定して第 1/2 相臨床試験の開始に向けた準備を進めている。2026 年内の臨床試験開始を目指している。

(4) 難聴 (KP2061)

難聴の患者数は国内で約 1,200 万人にのぼり、様々な原因によって発症する。加齢性難聴や騒音性難聴など、改善が困難な難聴については、補聴器や人工内耳などの人工聴覚機器を装着することで改善が図られるのが一般的だが、最近では遺伝子治療や再生医療分野での研究も進展している。

同社は 2023 年に（学）北里研究所と難聴治療薬の企業治験に向けた共同研究契約を締結するとともに、候補化合物を既に同定している。現在、治験に向けた前臨床のデータを収集して良好な結果が得られれば、作用機序の解析を進めるとともに企業治験に進む準備を開始する予定だ。

聴力障害を改善するためには、内耳細胞を改善する薬が必要だが、開発が難しく、医薬品開発のなかではブルーオーシャンとなっている。同社は iPS 細胞を用いて疾患特異的細胞を作製することで、研究開発の効率を高められるうえ、そのほかにも候補化合物を発見しており、今後研究開発を進めてパイプラインに追加する予定だ。難聴など聴力の疾患は対象患者数が多いだけに今後の動向が注目される。

脊髄損傷対象の iPS 細胞による臨床研究で運動機能改善を確認

2. 再生医療事業

再生医療事業では 5 本の開発パイプラインがあり、このうち最も先行しているのが亜急性期の脊髄損傷を対象とした「KP8011」だ。岡野氏と中村氏が 25 年の間研究を続けてきたテーマで、2025 年 3 月 21 日付で医師主導臨床研究の結果が、共同研究先である慶應義塾大学医学部などから発表された。

再生医療事業の開発パイプライン

開発コード	適応疾患	開発ステージ	共同研究先	導出先 (対象地域)	対象患者数 / 市場規模
KP8011	亜急性期脊髄損傷	Ph1/2 医師主導臨床研究中	慶應義塾大学	-	国内 年間 5 千人 / 750 億円
KP8021	慢性期脊髄損傷	基礎 / 探索研究段階	自社	-	国内 15 万人 / 2.25 兆円
KP8031	慢性期脳梗塞	前臨床研究中	大阪医療センター	-	国内 130 万人 / 19.5 兆円
KP8041	慢性期脳出血	基礎 / 探索研究段階	大阪医療センター	-	国内 20 万人 / 3 兆円
KP8051	慢性期外傷性脳損傷	基礎 / 探索研究段階	大阪医療センター	-	国内 5.68 万人 / 8,250 億円

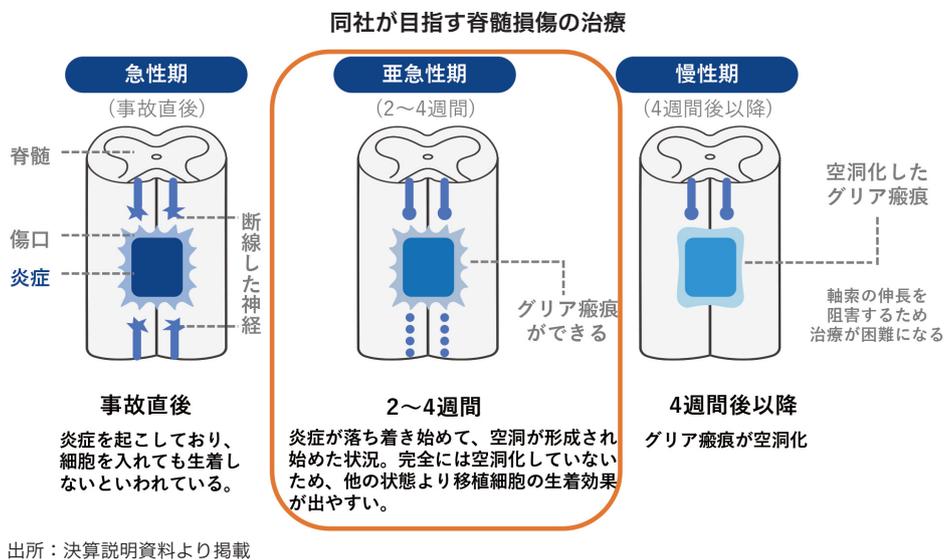
出所：決算説明資料よりフィスコ作成

開発パイプラインの動向

(1) 亜急性期脊髄損傷

これまでは脊髄損傷によって完全麻痺となった場合は有効な治療法がなかったが、同社は再生医療技術によって四肢機能の回復を目指している。他家 iPS 細胞から分化誘導した神経前駆細胞「KP8011」を、患者の疾患部に注射投与することで神経組織の再生を促し、四肢機能の回復する効果が期待されている。

脊髄損傷は、背骨を通る神経の束である脊髄が交通事故やスポーツなどでダメージを受け、切断されることで発症する。事故直後を急性期、2～4週間を亜急性期、4週間以降を慢性期脊髄損傷と呼び、同社では最も効果が期待できる亜急性期を対象に研究開発を進めてきた。急性期では事故直後に周辺組織が炎症を起こしており、神経前駆細胞を移植しても定着しにくい。また、慢性期では脊髄に空洞化やグリア瘢痕が生じ、軸索の伸長を阻害するため、治療効果が期待しづらくなる。



同社の治療法の特徴は以下の3点にまとめられる。

a) 比較的少ない細胞量の移植で可能

再生医療で細胞移植治療を行う場合、移植に必要な細胞の個数は数千万個以上程度だが、脊髄損傷では200万個程度と少ない細胞量で治療が可能のため、コストを抑えられるうえ、品質も安定させやすい。また、腫瘍化リスクも極めて低くなるというメリットがある。

b) 効果の発揮

iPS 細胞による神経回路回復のメカニズムとして、(1) 既存の神経に対して栄養因子を分泌することで保護作用が働き、(2) 神経細胞が神経線維に分化し新たな神経回路を作る、(3) 神経細胞がオリゴデンドロサイトに分化し新たな髄鞘を形成して軸索を覆う等の効果が期待できる。

開発パイプラインの動向

c) Notch シグナルの阻害剤を使用

慶應技術大学との独占的ライセンス契約により、腫瘍化リスクの回避や神経の軸索伸長を促進させる効果が期待できる Notch シグナル^{*}阻害剤を使用している。

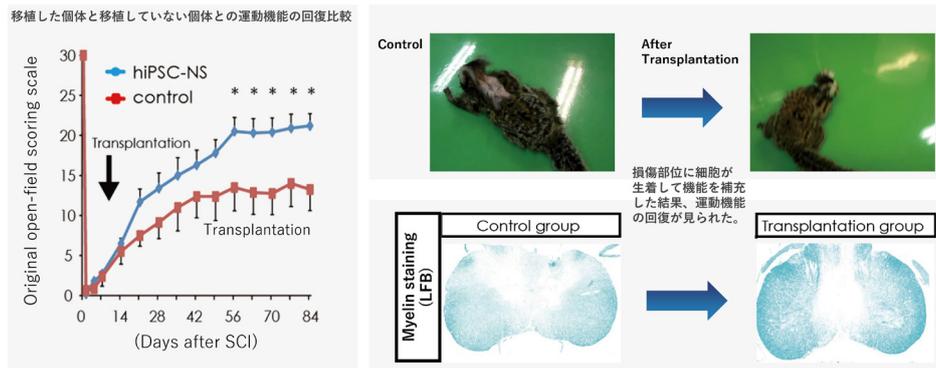
^{*} 進化上保存された発生過程や幹細胞における細胞運命決定を調節する経路。

サル科のマームセットを用いた脊髄損傷モデルの前臨床研究では、損傷部位に移植した「KP8011」が着実に生着し、運動機能の回復が行動面で確認された。この結果を受けて、慶應義塾大学では2020年12月から4例の臨床研究（移植後1年間の観察期間を設定）を実施し、2024年11月に最終被験者の組み入れが完了、2025年3月21日付で臨床研究成果を発表した。具体的には、4症例すべてで安全性が確認され有効性についても、2例で運動機能の改善が認められた。iPSC細胞治療で運動機能の改善が確認されたのは、同社によれば世界でも初のケースとなる。脊髄損傷の重症度を評価する判断基準としている ASIA Impairment Scale（以下、AIS）^{※1}では、1症例でベースラインの A から C に改善（自ら食事を摂取）、別の1症例で A から D に改善（歩行練習開始）が認められたとしている。総合せき損センターのデータベースを解析した数値では、AIS で A から C 以上に改善した割合は 10～12% と低く、症例数が少ないとはいえ今回の臨床研究で 50% の改善効果が確認された点は大きな成果と言える。また、国際的に脊髄損傷後の運動機能評価に用いられる評価法である ISNCSCI motor score ^{※2}でもベースラインから 13 点の改善（中央値）が認められたとしており、過去データベースの中央値（4～7 点程度）を大きく上回った。

^{※1} AIS A は運動・感覚とも完全に麻痺している状態、AIS B は、運動は完全麻痺だが肛門周囲の知覚が残存している状態、AIS C は障害レベル以下の運動機能がわずかに保たれている状態、AIS D は障害レベル以下の運動機能が抗重力程度に保たれている状態を指す。

^{※2} 第5頸髄～第1胸髄、及び第2腰髄～1仙髄の神経が支配する主要筋群について、上下肢左右5ヶ所ずつ（合計20ヶ所）の筋力を0～5点の6段階で評価し、全体で100点満点となる。

亜急性期脊髄損傷の前臨床研究



出所：決算説明資料より掲載

開発パイプラインの動向

今回の結果を受けて、同社は第1/2相臨床試験開始に向けた準備（細胞選定、CRO/CDMO選定、PMDAとの事前相談準備など）を進める予定だ。医師主導の臨床研究では、亜急性期脊髄損傷の患者に対して「KP8011」を移植し、移植後3週間でリハビリセンターに転院した。1年間の観察期間中に神経症状やMRI検査を実施して有効性と安全性のデータを収集した。早ければ2026年頃に治験を開始し、条件付き承認制度を活用して製造販売承認申請を行って、2030年前後の上市を目指している。これまでの再生医療等製品においては、品質の均一性や症例数の少なさなどが課題として指摘されることが多く、治験プロトコルの設定方法によって治験期間などが変動する可能性がある。したがって、同社が想定しているスケジュールどおりに進まないことも考えられるが、脊髄損傷はアンメットメディカルニーズが非常に強い分野であるため、スムーズに進展することが期待される。

国内の患者数は年間5千人で、市場規模は750億円と推計※している。既に慶應義塾大学による臨床研究の結果を踏まえて、国内外の大手製薬企業を中心に事業開発活動も本格化させており、導出に向けて複数の企業と継続的な情報交換も行っている。海外での臨床試験などは国内のデータを援用しながら、単独ではなく大手製薬企業と共同で進める考えだ。

※ 移植時に必要な再生医療等製品の薬価概算に、患者数を乗じて算出した数値。1人当たり1,500万円の薬価を想定している。

再生医療事業 KP8011 の開発パイプラインの進捗状況



出所：決算説明資料より掲載

(2) 慢性期脊髄損傷

慢性期脊髄損傷を対象とした「KP8021」は現在、神経成長の促進をより強化するための遺伝子を導入したiPS細胞の作製に着手している。今後マウスやラットなどを使って研究を進めることにしているが、臨床試験までにはしばらく時間がかかる見通しだ。

開発パイプラインの動向

(3) 慢性期脳梗塞

慢性期脳梗塞を対象とした開発プロジェクトについては、前臨床研究を大阪医療センターと共同で実施している。今後は企業治験に向けた iPS 細胞の選定、細胞製造法の最適化、治験に向けた品質管理試験項目の整理、企業治験プロトコルの検討などに着手し、2020 年代後半を目途に企業治験の開始を目指している。脳梗塞ではサンバイオ <4592> やヘリオス <4593> が間葉系幹細胞を用いた開発で先行しているが、同社は iPS 細胞由来の神経幹細胞のほうがより高い効果が得られるものと認識しており、後発でもキャッチアップすることは可能と見ている。

(4) 慢性期脳出血、慢性期外傷性脳挫傷

慢性期脳出血及び慢性期外傷性脳挫傷を対象とした開発プロジェクトは、大阪医療センターでの研究実績を踏まえた慢性期脳梗塞からの適用拡大に向けた検討を開始している。

業績動向

2024年12月期は研究開発の期ズレや費用抑制により計画比で損失額が縮小

1. 2024年12月期の業績実績

2024年12月期の業績は、売上高の計上がなく、営業損失で836百万円（前期は366百万円の利益）、経常損失で836百万円（同344百万円の利益）、当期純損失で846百万円（同260百万円の利益）となった。前期はアルフレッサ ファーマから契約一時金1,000百万円を受け取ったことで、創業以来初の黒字となった。しかし、開発ステージであるため、契約一時金などがなければ、研究開発費や販管費が計上されることで、営業損失が発生する。

2024年12月期業績実績

(単位：百万円)

	23/12 期 実績	24/12 期		前期比 増減額	計画比 増減額
		会社計画	実績		
売上高	1,000	-	-	-1,000	-
売上総利益	910	-	-	-910	-
販管費	543	1,043	836	292	-206
（研究開発費）	255	-	451	196	-
営業利益	366	-1,043	-836	-1,202	206
経常利益	344	-1,043	-836	-1,180	206
特別損益	-43	-	-7	35	-
当期純利益	260	-1,057	-846	-1,106	210

出所：決算短信よりフィスコ作成

業績動向

販管費は前期比 292 百万円増加の 836 百万円となり、このうち研究開発費は同 196 百万円増加の 451 百万円となった。共同研究開発費や iPS 細胞の作製などにかかる外注費が増加要因となった。また、その他の販管費も同 96 百万円の増加となったが、人員増（前期末比 2 名増）に伴う人件費の増加やパートナーとの提携に向けた事業開発活動を推進したことが増加要因となった。会社計画比では、研究開発プロジェクトで期ズレがあったことや、販管費の抑制に取り組んだこともあり、206 百万円の費用減になっており、営業損失も同額分縮小した。

2025 年 12 月期は企業治験の開始などもあって 研究開発費の増加を見込む

2. 2025 年 12 月期の業績見通し

2025 年 12 月期の業績は売上高の計上がなく、営業損失で 1,368 百万円、経常損失で 1,368 百万円、当期純損失で 1,381 百万円となる見通しだ。売上高は海外での ALS や FTD、脊髄損傷などの各開発パイプラインで、国内外の製薬企業などとの提携を目指した事業開発を推進しているが、保守的に計上なしの計画とした。販管費については、主に iPS 創薬事業の FTD やハンチントン病の企業治験や再生医療事業の亜急性期脊髄損傷、慢性期脳梗塞の治験準備にかかる研究開発費（CDMO 費用など）の増加、並びに人員体制強化に伴う人件費増を主因として、同 532 百万円の増加を見込んでいる。人員については研究開発、本社管理部門含めて 4～5 名の増員を見込んでいる。そのほか、新たなモダリティや領域の検討、開発の推進を目的に米国で研究所の設立準備を進めているほか、AI/ ロボットなどの先端技術の活用についての検討や、IR 広報活動の強化も進める。

2025 年 12 月期業績見通し

(単位：百万円)

	24/12 期 実績	25/12 期 会社計画	前期比 増減額
売上高	-	-	-
販管費	836	1,368	532
営業利益	-836	-1,368	-532
経常利益	-836	-1,368	-532
当期純利益	-846	-1,381	-535

出所：決算短信よりフィスコ作成

手元キャッシュは事業活動費の2年程度を目安とし、 状況を見て資金調達も検討

3. 財務状況

2024年12月期末の資産合計は前期末比960百万円減少の2,353百万円となった。事業活動資金の支出により現金及び預金が998百万円減少したことによる。負債合計は同114百万円減少の94百万円となった。未払費用が18百万円増加した一方で、未払法人税等が68百万円減少したことなどによる。また、純資産合計は当期純損失の計上により、同846百万円減の2,258百万円となった。

同社は2023年10月に株式上場し、約15億円の資金調達を行ったが、今後も開発ステージが続くことから、ライセンス契約などによる契約一時金がなければ、研究開発費など事業を進めるうえでの資金を調達する必要がある。同社では手元キャッシュとして2年分程度の資金は確保しておきたい意向であるため、今後状況を見ながら、新たな資金調達を検討するものと思われる。なお、同社は複数の銀行と合計12億円の当座貸越枠を設定しており、機動的に資金調達が行える体制を確保している。

貸借対照表

(単位：百万円)

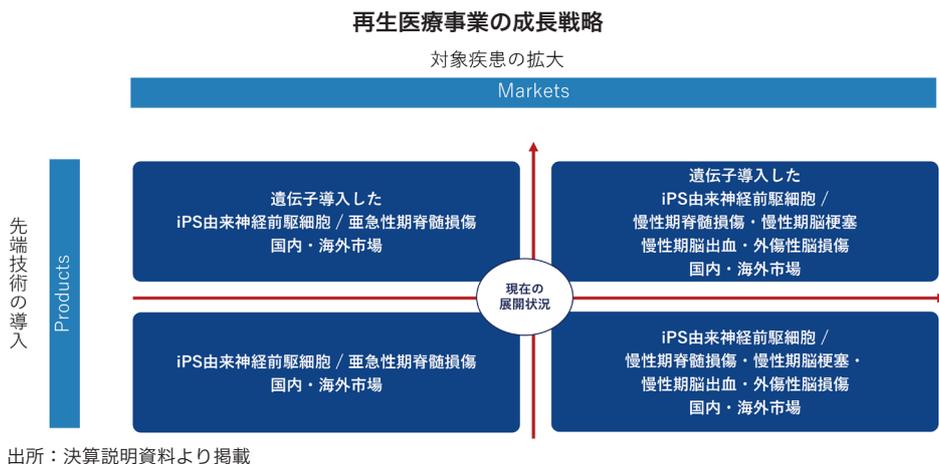
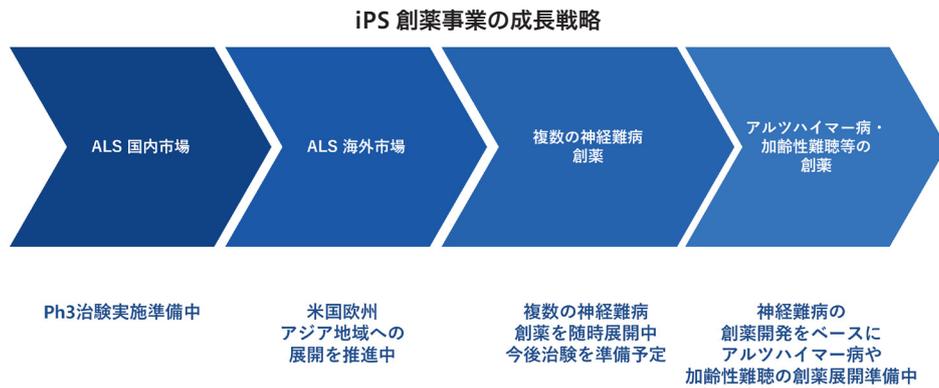
	22/12 期末	23/12 期末	24/12 期末	増減
流動資産	1,370	3,308	2,348	-960
(現金及び預金)	1,336	3,266	2,268	-998
固定資産	3	4	4	-
資産合計	1,374	3,313	2,353	-960
負債合計	38	209	94	-114
(有利子負債)	-	-	-	-
純資産合計	1,336	3,104	2,258	-846
(安全性)				
自己資本比率	97.2%	93.7%	96.0%	2.3pp
有利子負債比率	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 今後の成長戦略

中枢神経領域を主なターゲットに 開発パイプラインを拡充し成長を目指す

今後の成長戦略として、iPS創薬事業では「Rare to Common 戦略」を推進する。各神経変性疾患が示す病態については一部共通した疾患メカニズムがあることから、希少疾患の基礎研究を進めるアカデミアとの連携体制を活用することで希少疾患の創薬開発に取り組み、国内から海外へ展開するほか、将来的には患者数の多い疾患、具体的にはアルツハイマー病や加齢性難聴などの創薬開発を目指す戦略である。一方、再生医療事業では、神経中枢疾患領域の再生医療を遺伝子導入などの最先端技術を活用しながら、脊髄損傷から脳疾患に、国内から海外へと展開する戦略である。



重要事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。

本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■

〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3

株式会社フィスコ

電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）

メールアドレス：support@fisco.co.jp