‖ 企業調査レポート ‖

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

企業情報はこちら >>>

2026 年 11 月 27 日（金）

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. 業績動向 01
2. CLK 阻害薬 rogocekib の開発状況と今後の展望 01
3. 今後の事業方針 02

会社概要 03
1. 会社沿革 03
2. 事業概要 05

開発パイプライン 09
1. rogocekib 09
2. その他パイプライン 16

業績動向 19
1. 2026年8月期の業績概要 19
2. 2027年8月期の業績見通し 20
3. 財務状況 20
4. 今後の事業方針 21

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

要約

CLK 阻害薬 rogocekib が第 2 相臨床試験の開発に向けて進行中

Chordia Therapeutics<190A>は、武田薬品工業<4502>からスピンアウトした創薬研究者が創業したバイオベンチャーで、低分子化合物の抗がん薬に特化した開発を行っている。探索研究から臨床研究までをコアビジネスとし、国内では提携戦略により製造・販売まで自社で行い、海外ではライセンスアウトすることで早期収益化を目指すことを基本戦略としつつも、将来的な事業提携の時期や形態についてあらかじめ選択肢を限定することなく、パイプライン価値及び株主価値の最大化を目指している。リードパイプラインは CLK 阻害薬 rogocekib（ロゴセキブ、CTX-712、以下、rogocekib）である。2024 年 6 月に東京証券取引所グロース市場に株式上場した。

1. 業績動向

2026 年 8 月期の業績は事業収益の計上がなく、経常損失で 1,450 百万円（前期は 1,769 百万円の損失）となった。rogocekib の原薬・製剤関連コストを中心に研究開発費が前期比 270 百万円減の 1,154 百万円となったことが損失縮小の要因であった。2027 年 8 月期の業績予想は非開示だが、研究開発費は rogocekib の臨床試験費用を中心に前期比で若干の増加が見込まれている。2026 年 8 月末時点の現金及び預金は 2,052 百万円と 1 年分強の事業活動資金はあるものの、rogocekib の開発資金や財務的柔軟性を確保するため、2026 年 9 月に第三者割当による第 12 回新株予約権（当初行使価額 82 円、下限行使価額 41 円、希薄化率 23.8%）を発行した。当初行使価額ですべて行使された場合、約 15 億円の資金調達が可能になる。なお、2026 年 10 月末までに 130 万株分が行使された。

2. CLK 阻害薬 rogocekib の開発状況と今後の展望

リードパイプラインである rogocekib は、2023 年に米国で開始した再発・難治性の急性骨髄性白血病（以下、AML）及び骨髄異形成症候群（以下、MDS）を対象とした第 1/2 相臨床試験において安全性及び有効性の基準を満たす用法・用量が確認され、2026 年 3 月より複数の用法・用量に絞り込んだ初期拡大コホート（以下、IE）を開始した。IE の結果を基に、用法・用量及び適応症をさらに絞り込んだ追加拡大コホート（以下、AE）を実施し、2027 年中ごろを目途に AE の評価を行い、その結果を踏まえて第 2 相臨床試験の開発方針を決定する予定である。rogocekib は、mRNA※生成過程において過剰なストレスを与えることでがん細胞を死滅させる新たな作用機序の低分子化合物であり、開発に成功すれば AML の 2 次治療領域だけで潜在市場規模は 2,000～4,000 億円と同社では試算している（対象患者数は日米欧で最大約 18,750 人と見積もられ、薬価と平均治療期間に基づいて算定）。なお、2026 年 8 月には再発・難治性 AML を対象に日本で希少疾病用医薬品に指定された。また、同年 9 月には（国研）日本医療研究開発機構（以下、AMED）が公募した「革新的医療技術研究開発推進事業」の 1 つとして rogocekib の開発プロジェクトが採択され、今後日本も参加する国際共同治験の開発資金として最大 15 億円の支援（補助対象経費の 2 分の 1）が受けられることになり、開発の進展が期待される。

※ RNA（Ribonucleic acid）はリボ核酸の略で、遺伝子である DNA からタンパク質を生成するために必要な物質。ゲノム DNA から転写されたメッセンジャーRNA（mRNA）、タンパク質合成時に利用されるトランスファーRNA（tRNA）などがある。

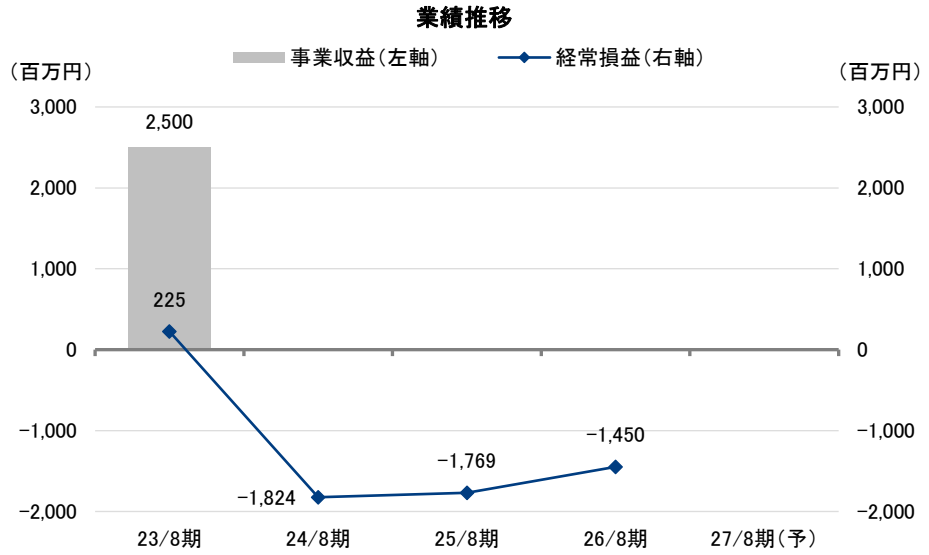
本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

3. 今後の事業方針

同社は「日本発の研究開発型の製薬会社になる」ことを 2030 年ビジョンとして掲げている。経営の最優先事項として、rogocekib の開発にリソースを集中し、再発・難治性 AML 治療薬として早期の上市を目指すほか、AML の 1 次治療や適応症の拡大により、rogocekib の価値最大化を図っていく。また、リンパ腫等を対象とした MALT1 阻害薬（CTX-177）や卵巣がん及び乳がん等を対象とした CDK12 阻害薬（CTX-439）などその他のパイプラインについては、導出活動や共同開発パートナーの探索を推進し、効率的に収益化を目指す戦略である。

Key Points

- 武田薬品工業からスピンアウトし、低分子化合物の抗がん薬開発を進める
- rogocekib は 2027 年中ごろに第 2 相臨床試験の開発方針を決定
- その他パイプラインは早期導出や共同開発パートナーの探索に注力
- 2027 年 8 月期業績予想は非開示だが、すべてのパイプラインで提携の機会を追求



注：2027 年 8 月期業績予想は非開示
出所：決算短信、会社ホームページよりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

会社概要

武田薬品工業からスピンアウトし、低分子化合物の抗がん薬開発を進める

1. 会社沿革

同社は、武田薬品工業で低分子化合物の抗がん薬開発を行っていた創薬研究者 6 人がスピンアウトして共同創業者となり、2017 年 10 月に設立したバイオベンチャーである。武田薬品工業時代に開発を進めていたパイプラインのなかから 4 品目を選び、同年 11 月に武田薬品工業と全世界の独占的研究、開発、製造及び販売に関するライセンス契約を締結して、開発をスタートさせた。武田薬品工業では 2016 年ごろにグループ全体の研究開発戦略の見直しを検討するなかで、抗がん薬の自社開発については抗体医薬品や細胞治療などニューモダリティ分野に絞り込み、低分子化合物の開発は優先順位を下げる方針を決定した。これは低分子化合物の創薬に見込みがなくなったわけではなく、事業の選択と集中を行う必要に迫られるなかで決定したものである。こうしたなか、当時武田薬品工業のがん創薬ユニットの日本のヘッドであった現代表取締役の三宅 洋（みやけ ひろし）氏等がスピンアウトし、低分子化合物の創薬を継続していくことになった。なお、武田薬品工業とのライセンス契約の内容は、設立経緯や武田薬品工業が同社株式の約 14%を保有する筆頭株主であることもあって、同社にとって好ましい条件のようである。

リードパイプラインである rogocekib は、2018 年 8 月に日本で開始した第 1 相臨床試験で良好な結果を得たことから、2023 年 2 月より米国で再発・難治性の AML 及び MDS※を適応症とした第 1/2 相臨床試験を開始しており、2025 年 1 月には米国食品医薬品局（FDA）がオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）として指定した。オーファンドラッグ指定を受けるメリットとして、承認申請時手数料の免除や承認後最長 7 年間のデータ保護、税制優遇、承認プロセスの簡略化などがあり、rogocekib の承認審査の迅速化や将来的な価値最大化に貢献するものと評価できる。日本でも 2026 年 8 月に再発・難治性 AML を対象としたオーファンドラッグに指定されている。

※ 骨髄中で血液細胞のもとになる造血幹細胞に異常がおき、正常な血液細胞（赤血球、白血球、血小板）が作れなくなる疾患で、病状が進行すると AML に移行する場合がある。

同社は日本市場では製薬企業としての事業展開を目指しており、そのための体制整備として製造委託先であるシオノギファーマ（株）と協業に関する基本合意書を、また物流・販売促進に関しては、メディパルホールディングス<7459>との業務提携に関する基本合意書をそれぞれ 2022 年 5 月に締結した。なお、シオノギファーマについては 2027 年 4 月に親会社である塩野義製薬<4507>に吸収合併されることが決定している。現時点では基本合意書の内容について見直し等の打診は受けていないが、今後の契約見直しリスクに備えて製造委託先の探索を進めている。従業員数は 2026 年 8 月末時点で前期末比 1 名減の 22 名（うち、Ph.D. 12 名）となっており、当面は同水準を維持する方針である。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

会社沿革

年月	主な沿革
2017 年 10 月	創薬研究を目的として、神奈川県藤沢市の湘南ヘルスイノベーションパーク内にて会社を設立
2017 年 11 月	武田薬品工業（株）とライセンス契約を締結し、4 つのパイプラインの全世界での独占的研究、開発、製造及び商業化する権利を獲得 武田薬品工業、京都大学イノベーションキャピタル（株）、他数社を引受先とする出資契約を締結
2018 年 8 月	抗がん薬化合物 CTX-712 の日本での第 1 相臨床試験を開始
2019 年 3 月	ジャフコ グループ（株）、京都大学イノベーションキャピタル、他数社を引受先とする出資契約を締結
2020 年 12 月	小野薬品工業（株）に対し、同社が保有する抗がん薬化合物 CTX-177 及びその関連化合物を全世界で独占的に研究、開発、製造及び商業化する権利について、ライセンス契約を締結（2025 年 4 月 28 日に権利返還）
2022 年 5 月	日本グロースキャピタル投資法人、東京大学協創プラットフォーム開発（株）、MEDIPAL Innovation 投資事業有限責任組合、新生キャピタルパートナーズ（株）、日本ベンチャーキャピタル（株）、シオノギファーマ（株）を引受先とする出資契約を締結 （株）メディパルホールディングスとの将来的な流通及び販売促進等における業務提携に関する基本合意書を締結 シオノギファーマと低分子化合物の製造における協業に関する基本合意書を締結
2022 年 8 月	導出先である小野薬品工業が抗がん薬化合物 CTX-177（ONO-7018）の米国での第 1 相臨床試験を開始
2023 年 2 月	抗がん薬化合物 CTX-712 の米国での第 1/2 相臨床試験を開始
2023 年 8 月	抗がん薬化合物 CTX-712 の日本での第 1 相臨床試験の症例登録完了
2024 年 6 月	東京証券取引所グロース市場に株式を上場
2024 年 11 月	抗がん薬化合物 CTX-712 の医薬品国際一般名称（rogocekib）の決定
2025 年 1 月	抗がん薬化合物 CTX-712（rogocekib）の米国における希少疾病用医薬品指定
2025 年 4 月	抗がん薬化合物 CTX-177（ONO-7018）に関する小野薬品工業とのライセンス契約を解消
2025 年 7 月	（株）デ・ウエスタン・セラピテクス研究所と眼科疾患に対する治療薬開発に向けた共同研究開始
2025 年 8 月	千寿製薬（株）と眼科疾患に対する治療薬開発に向けた共同研究開始
2026 年 4 月	抗がん薬化合物 CTX-177 の医薬品国際一般名称（ocipumaltib）の決定
2026 年 6 月	抗がん薬化合物 CTX-712 に関する米国第 1/2 相臨床試験用量漸増コホートの中間成績を発表
2026 年 8 月	抗がん薬化合物 CTX-712（rogocekib）の日本における希少疾病用医薬品指定

出所：有価証券報告書、会社リリースよりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

RNA 制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発を進める

2. 事業概要

（1） 経営方針

同社は、「日本発」「世界初」の新しい抗がん薬を開発し、1 日でも早く患者のもとに届けることで、「Tomorrow is Another Day～明日に希望を感じる社会の実現～」を目指している。「First in Class※抗がん薬を創る」をミッションに掲げ、ミッションの実現を通じて 2030 年には日本発の研究開発型の製薬会社に成長していくことをビジョンとしている。

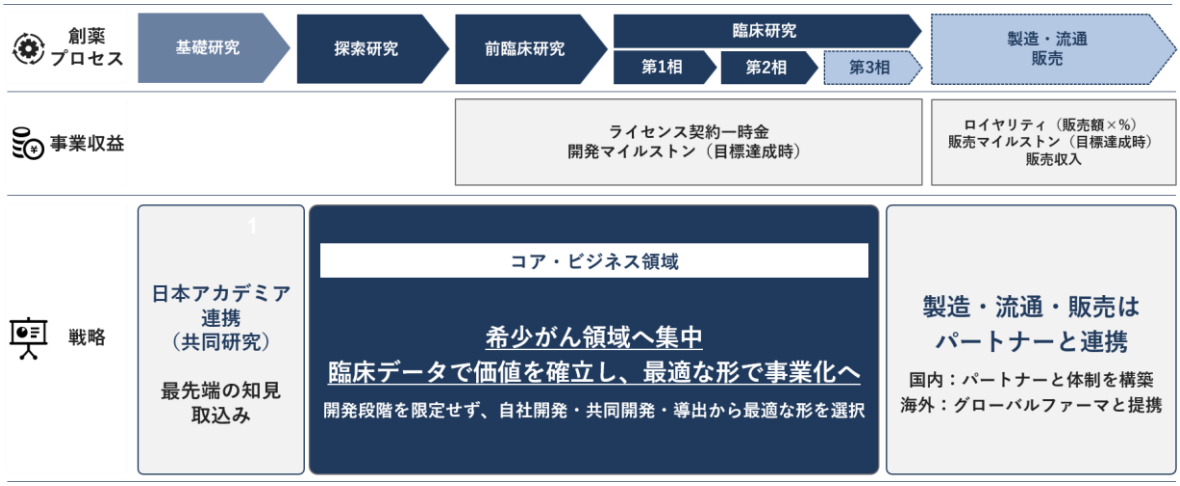
※ ファーストインクラス。新しくユニークな作用機序により、既存治療薬と異なる有用性を示す革新的医薬品のこと。

（2） ビジネスモデル

同社の特徴は、アカデミアとの連携によるシーズ探索能力と、製薬会社で培った創薬力によって上市させる研究開発能力を持つことにある。アカデミアとの共同研究に関しては、AMED からの助成金も活用しながら効率的に進めているほか、新薬開発において重要となるバイオマーカーの発見や新規骨格化合物の創出について AI 技術も活用しながら、開発効率の向上に取り組んでいる。

医薬品の開発プロセスは基礎研究から始まり、探索研究、前臨床研究を経て、臨床試験によりヒトでの安全性・有効性を確認したのちに、製造販売承認を行い上市に至る。このうち同社は探索研究から臨床研究のなかでも第 2 相（少数のヒトに対しての効果検証）までをコアビジネスとして行うことを基本方針としている。また、国内では製造・販売まで自社（パートナー企業含む）で行い、海外市場はライセンスアウトを活用する。ライセンスアウトのタイミングは、パイプラインの価値、費用、競合状況に鑑み、基本形としては価値が急上昇する第 2 相臨床試験前後で検討することになる。事業収益としては、ライセンス契約締結の際に発生する契約一時金や開発の進捗に応じて得られる開発マイルストンのほか、上市に成功した場合は販売額に応じたロイヤリティ収入や販売マイルストンが得られることになる。

医薬品の開発プロセス



出所：事業計画及び成長可能性に関する事項より掲載

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

創薬のターゲットは医療ニーズの高いがん領域で、ファーストインクラスの低分子化合物の創薬に取り組んでいる。新しい作用機序のため、安全性や有効性の予測が難しい反面、既存治療薬で効果の出なかった患者に対して大きな薬効が得られる可能性もある。薬価算定の際にその有効性や新規性に応じて高い価格に設定されることが多いため、グローバル製薬企業からの関心度も高く、大型ライセンス契約につながりやすい。同社ではこうした創薬研究を多くのアカデミアと共同で行っており、資金面では AMED からの助成金も活用しながら効率的に進めていることが特徴である。

アカデミアを中心とした 11 の共同研究



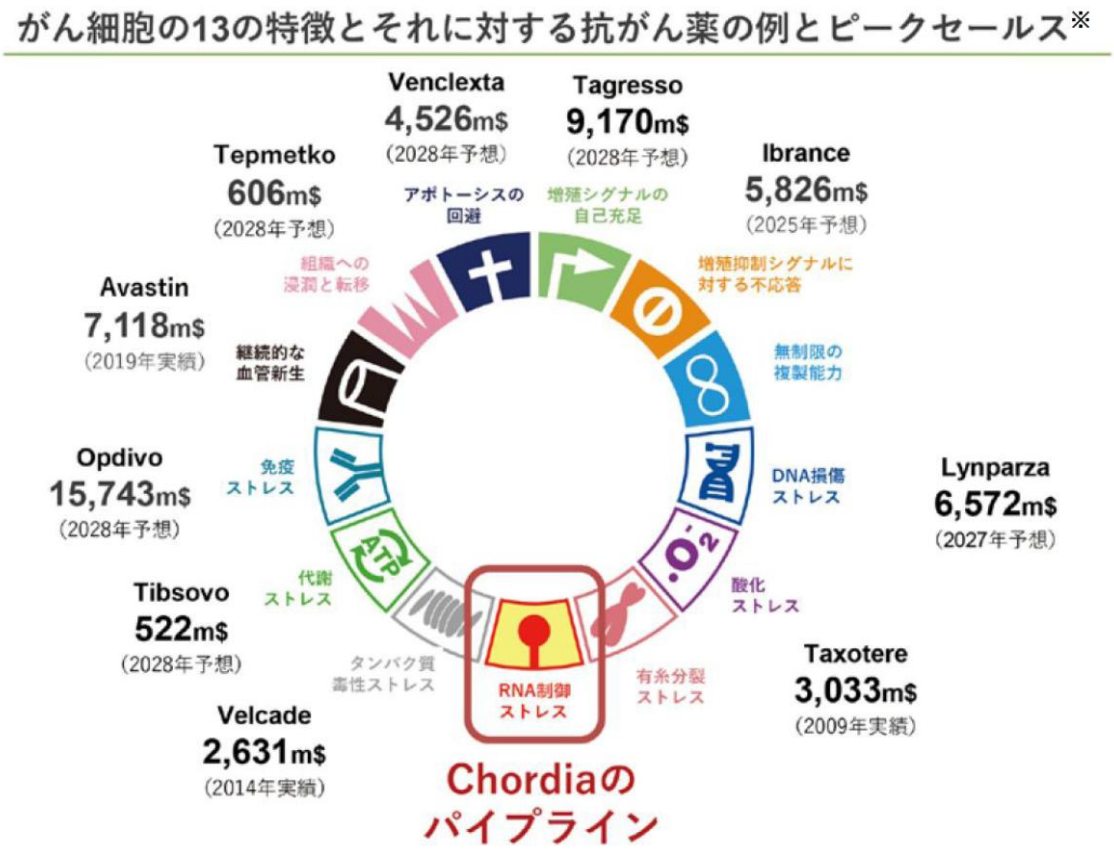
出所：決算説明資料より掲載

（3） RNA 制御ストレスを標的とした抗がん薬

抗がん薬の標的となる分子を見つけ出すには、がん細胞のホールマーク（特徴）を見出し、正常細胞との違いを明らかにすることが重要とされている。近年の研究によってがん細胞には 13 のホールマークの存在が明らかになっており、このうち免疫ストレスや DNA 損傷ストレスなど 10 のホールマークを標的とした抗がん薬については、小野薬品工業<4528>のオプジーボなど多くのブロックバスターが創出されている。こうしたなか、同社はまだ上市品が存在しない RNA 制御ストレスを標的とした抗がん薬の開発を進めている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

RNA 制御ストレス



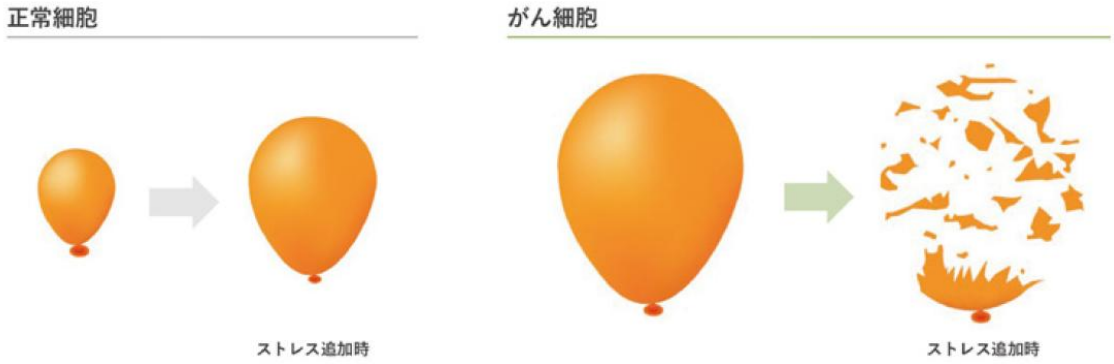
※ がんの特徴のいずれかを標的とする抗がん剤の開発に成功した場合に対処可能な最大世界市場規模の推定値であり、同社の現在または将来のパイプラインの潜在的市場規模を意味するものではない。また各抗がん薬についての数値は、売上が最大額となった年における売上金額。
出所：決算説明資料より掲載

がん細胞は RNA を生成する複数の過程が乱れ、正常細胞に比べて過剰にストレスがかかっている状態にある。こうした状態に対して、さらにストレスを加える抗がん薬を投与することで、がん細胞を死滅させる。ストレスがかかっていない正常細胞も抗がん薬投与によってある程度のストレスがかかり、若干の副作用が生じるものの※、時間経過とともにストレス状態から解消され正常な状態に戻ることが研究で明らかになった。

※ CTX-712 の第 1 相臨床試験では、悪心や嘔吐などの副作用が確認されたが、制吐剤を投与することでコントロールが可能なレベルであり、安全性には問題のないことが確認されている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

抗がん薬のコンセプト



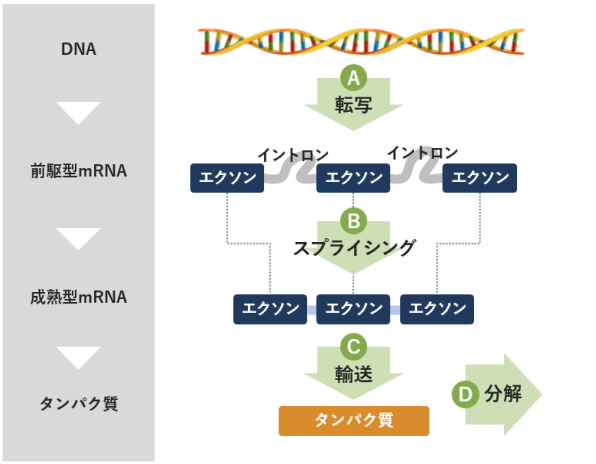
出所：決算説明資料より掲載

ヒトのタンパク質が生成される過程を簡単に見ると、DNA から遺伝子情報を転写することで前駆型 mRNA を生成し、次にタンパク質を作るために必要なスプライシング過程※1 を経て成熟型 mRNA になり、さらにトランスファーRNA をタンパク質合成の場に輸送することでタンパク質が生成される。同社はこの転写、スプライシング、輸送などの過程で働きを担う各種キナーゼ※2 を阻害する抗がん薬の開発を進めている。

※1 前駆体 mRNA からタンパク質合成に不必要な部分（イントロン）を取り除く工程。
※2 キナーゼとは、細胞の増殖や機能を調節する役割を担う酵素の総称。

RNA の生成プロセスと同社のパイプラインが作用する各過程

正常なRNAを生成し、タンパク質を生成する過程



A：転写

当社パイプライン：CTX-439（CDK12阻害薬）

DNA情報をmRNAに写しとる過程。この転写過程を直接つかさどっている重要なタンパク質としてRNAポリメラーゼが知られている。RNAポリメラーゼはDNAを鋳型として前駆型mRNAを作る

B：スプライシング

当社パイプライン：rogocekib（CTX-712／CLK阻害薬）

転写後の前駆型mRNAはタンパク質を作るために必要なエクソン配列に加えてタンパク質合成に不要なイントロン配列の両方を含んでいるため、エクソン配列を繋げ、イントロン配列を取り除き、成熟型mRNAを作る過程

C：輸送

当社パイプライン：GCN2阻害薬

スプライシングを受けた成熟型mRNAやタンパク質を作るために必要なトランスファーRNA（tRNA）をタンパク質合成の場に輸送する過程。

D：分解

当社パイプライン：新規パイプライン（標的非開示）

タンパク質合成の鋳型として役割を果たしたmRNAやtRNAが分解される過程。

出所：決算説明資料より掲載

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

開発パイプライン

rogocekib は 2027 年中ごろに第 2 相臨床試験の開発方針を決定

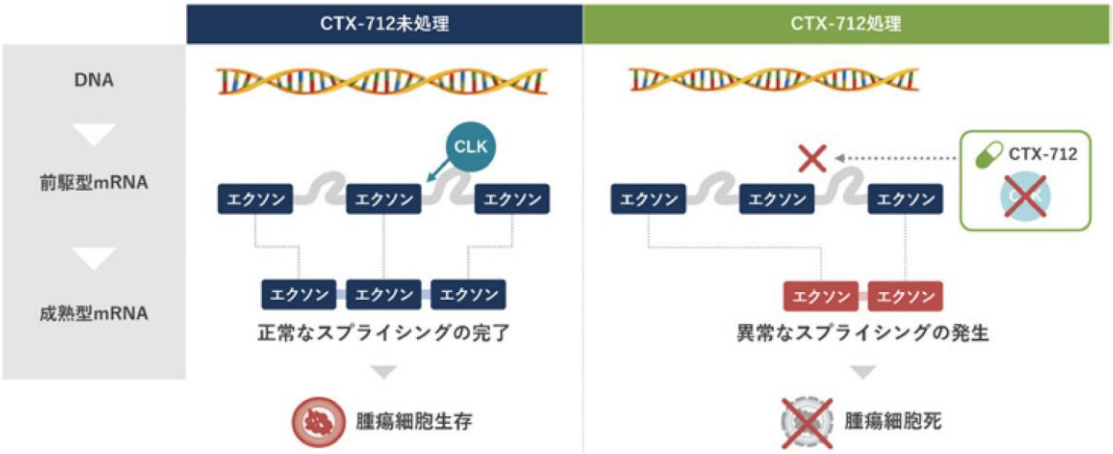
1. rogocekib

（1） 開発状況

現在のリードパイプラインである rogocekib は、mRNA 生成過程において重要な役割を担う CLK キナーゼ※の働きを阻害することで異常なスプライシングを発生させ、RNA 制御ストレスを増大させてがん細胞を死滅させる効果が期待されている。

※ CLK キナーゼは、基質である SR タンパク質をリン酸化する働きを持つ。SR タンパク質がリン酸化することで前駆型 mRNA のうち不要な箇所（イントロン）が正確に取り除かれ、正常なスプライシングが促進される。

rogocekib（CTX-712）の効果



出所：決算説明資料より掲載

2018 年から 2023 年まで日本で実施した第 1 相臨床試験では、標準治療の効果がない再発・難治性の AML や MDS などの血液がん及びその他固形がん（卵巣がん、乳がん、すい臓がん、大腸がん、肉腫等）の合計 60 症例を対象に安全性や有効性などを確認した。治験デザインは、週 2 回投与で用量漸増試験※を行い、主要評価項目として安全性、有効性、最大耐量、用量制限毒性を、副次的評価項目として薬物動態などのデータを収集、評価した。

※ 間隔をあけて投与するのは、CTX-712 の投与によってストレスがかかった正常細胞の状態を元に戻すため。コホート A（固形がん：用量漸増コホート 10mg、20mg、40mg、80mg、115mg、140mg、160mg）、コホート B（血液がん：用量漸増コホート 70mg、105mg）などを実施した。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

被験者投与を進めるなかで、血液がんや卵巣がんで薬効が確認できたため、これら疾患の患者を優先的に組み入れることにし、結果的に血液がん 14 例、卵巣がん 14 例、その他固形がん 32 例となった。試験結果については、2024 年 4 月に開催された米国がん学会において発表しており、有害事象としては悪心、嘔吐、下痢などが挙げられたが、制吐剤などを投与することでコントロールが可能であり、安全性について問題のないことが確認された。

有効性に関しては、卵巣がん 14 例中 3 例で PR（部分奏効）※1が確認されたほか、血液がん 14 例（うち AML12 例、MDS2 例）のうち、4 例で CR（完全寛解）、1 例で CRi（好中球未回復の完全寛解）、1 例で MLFS（形態学的無白血病状態）が確認された。このうち、血液がんの奏効率（42.9%）については、AML 治療薬として承認された第一三共<4568>のヴァンフリタと比較して遜色ない水準※2だったほか、2024 年 11 月に AML 治療薬として米国で承認された Syndax Pharmaceuticals<SNDX>の Revumenib の第 2 相臨床試験結果（症例数 57 例中、10 例で CR、15 例でがん細胞が体内から一時的になくなった状態を示す CRi、CRh、CRp を達成）や、承認申請間近の他社開発品の成績とも比肩し得る成績であったと同社では評価している。

※1 PR（Partial Response）は、治療前と比較して腫瘍の大きさが 30%以上縮小した状態。白血病における CR（Complete Remission）は、骨髄に存在する白血病細胞の割合が 5%未満であり、正常な好中球と血小板の数が完全に回復している状態。CRi（Complete Remission with Incomplete hematologic recovery）は、骨髄に存在する白血病細胞の割合が 5%未満であるが、好中球、血小板のどちらか一方、またはその両方の回復が不完全な状態。
※2 ヴァンフリタは 16 例中、CR を達成した症例はなかったものの 56%が何らかの奏効を示した（奏効率 56%）。

なお、AML 及び MDS の被験者 14 例中、投与前の段階でスプライシング因子に異常があった被験者 4 例のうち 3 例で奏効が確認され、投与期間も 300 日以上と長期間の奏効が認められるなど、患者が保有するスプライシング異常と治療効果の関連を示唆する結果が得られている。がん種別でスプライシング因子に異常を持つ患者の割合を見ると、肺がんや乳がんなどは 1～2%と低いのに対して、AML が 10～20%、MDS が 40%と血液がんで相対的に高い傾向である。また、AML については標準治療が効かずに再発する可能性が高く、5 年生存率も 30%程度と低いことから、新たな治療法の開発が強く望まれている状況も踏まえて、同社はまず再発・難治性の AML 及び高リスク MDS 等を適応対象として開発を進めていくことを決定し、米国で 2023 年より第 1/2 相臨床試験を開始した※。

※ 米国でも第 1 相を行うことになったのは、日本で実施した臨床試験でカプセル剤を用いたのに対して、米国では市販を見据えて錠剤で試験を行うことになったため。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

米国での臨床試験は当初、2024年末ごろに第1相試験を終える予定であったが、FDAが2021年に提唱した「プロジェクト・オプティマス※1」に則って、第1相試験の組み入れ数を増やす方針に転換した※2。2025年9月に発表した臨床試験計画の改訂版によれば、第1相パートの用量漸増コホートは当初予定していた週1回5用量（20mg、40mg、80mg、100mg、140mg）の投与スケジュールに加えて、新たに週2回3用量（60mg、80mg、100mg）を追加し※3、合計42症例（AML23例、MDS16例、CMML※4 3例）の組み入れを行い、その結果を2026年6月に開催された欧州血液学会（EHA）で発表した。

※1 FDAが、「がん治療薬の開発において投与量の最適化と安全性向上を目的として、第1相段階で複数の用量・用法を検討したうえで第2相臨床試験を行うことが望ましい」との指針を示した。
※2 米国で「プロジェクト・オプティマス」に未対応だった他社の開発品が、販売承認申請しようとしたところ、FDAから差し戻されるといったケースがあり、第2相臨床試験後に販売承認を得るためには同指針に対応しておいたほうが良いとのコンサルティング会社からの助言があり、方針転換した。
※3 28日を1サイクルとして検査を行い、がんが進行している場合は投与を中止する。
※4 CMML（慢性骨髄単球性白血病）：単球の増加と血液細胞の異形成を特徴とする、MDSとMPN（骨髄増殖性腫瘍）の両方の性質をあわせ持つ血液がんで、高齢男性に多く発症する。

要旨としては、1）日本で実施した第1相臨床試験と同様に安全性や薬物動態については管理可能な水準であることが確認されたこと、2）日本の試験と比較して高齢かつ前治療歴の多い治療困難な患者が多かったにもかかわらず、評価可能症例数34例（低用量群含む）のうち4例で客観的奏効を達成したこと（奏効率11.8%）、3）スプライシング変異を有する患者14例中5例が、ベースラインと比較して骨髄芽球の50%以上の減少を達成したことの3点が明らかになった。患者属性については、75歳以上が全体の33.3%、3レジメン以上の治療歴を持つ患者が57.1%、AML予後不良の患者が73.9%と治療困難な患者が多かったが、これは臨床試験を迅速に進めるためにリクルート条件を幅広く設定したことが要因である。なお、CMML患者を組み入れたのはスプライシング変異を有する患者の比率が高かったことによる。

データの詳細を見ると、副作用の発現頻度については悪心が52.4%、下痢が35.7%と高かったが、これらは日本で実施した第1相臨床試験と同様で管理可能な水準であった。また、血液がん患者で最も重要視される血液毒性についても、血小板減少の発生頻度が11.9%と低水準であり、安全性について問題のないことが確認された。

安全性

主な副作用の発生頻度（n=42）	
悪心	52.4%
下痢	35.7%
便秘	14.3%
嘔吐	14.3%
血小板減少	11.9%
味覚異常	11.9%

最大耐量（MTD）・用量制限毒性（DLT）	
MTD	100mg（週1回、週2回とも）
DLT発現率	12.8%

DLT発現コホート		
用量	例数	事象
80mg（週1回）	1	低血圧
140mg（週1回）	2	呼吸困難、心嚢液貯留、胸水、低血圧
80mg（週2回）	1	出血性食道炎
100mg（週2回）	1	ALT増加、AST増加

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

一方、副次的評価項目であった有効性については、低用量群を含む評価可能症例数 34 例のうち、AML で 3 例の CRi、MDS で 1 例の mCR※を示し、全奏効率は 11.8%となった。日本で実施した第 1 相臨床試験の奏効率（42.9%）と比較して低い水準であったが、低用量群も含めた数値であること（日本では用法・用量が週 2 回・70mg/105mg で実施した）に加えて、厳しい状態の患者が多かったことも踏まえれば順当な結果であったと同社では評価している。用法・用量別で見ると、AML 患者で 100mg 週 1 回投与の患者群だけで見れば、奏効率は 50.0%（2/4 例）と好成績であった。サンプル数が少ないため拡大コホートにて症例数を蓄積することにしている。

※ 骨髄の完全寛解状態。

サブグループ別奏効率

対象疾患・用法用量	効果	奏効率
AML/100mg 週 1 回	CRi	50%（2/4 例）
AML/80mg 週 2 回	CRi	20%（1/5 例）
MDS/80mg 週 1 回	mCR	25%（1/4 例）
＜参考＞日本第 1 相試験		
AML12 例、MDS2 例 70mg または 105mg 週 2 回	CR 4 例 CRi 1 例 MLFS 1 例	42.9%（6/14 例）

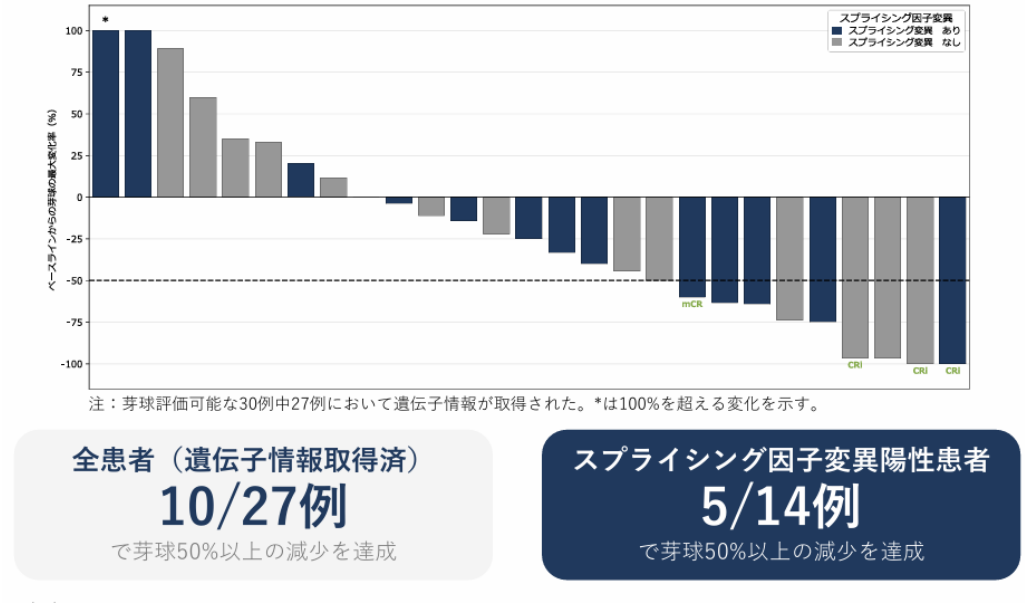
出所：決算説明資料よりフィスコ作成

なお、AML で CRi を達成した 3 例については、全症例が血液がん治療薬であるベネトクラクスに抵抗性を示した患者で、うち 2 例は 4 回以上の前治療歴を有していたことから、rogocekib が再発・難治性 AML に対して有効な治療薬になり得る可能性を示したとも言える。奏効期間（中央値）は 157 日、寛解までの期間（中央値）は 29 日であった。また、スプライシング変異を有する患者 14 例中 5 例（35.7%）が、ベースラインと比較して骨髄芽球※の 50%以上の減少を達成しており、スプライシング変異陽性患者で効果があることが確認されている。評価可能な全症例 27 例で見ると 10 例（37.0%）で 50%以上の骨髄芽球減少を達成している。差がないように見えるが、低用量群の患者を含んでいることや他の遺伝子変異が影響している可能性があり、さらなる分析が必要と同社では考えている。

※ 白血病細胞である可能性が極めて高い細胞。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

芽球最大変化率



注：芽球評価可能な30例中27例において遺伝子情報が取得された。*は100%を超える変化を示す。

全患者（遺伝子情報取得済）
10/27例
で芽球50%以上の減少を達成

スプライシング因子変異陽性患者
5/14例
で芽球50%以上の減少を達成

出所：「EHA2026 中間成績発表における補足説明資料」より掲載

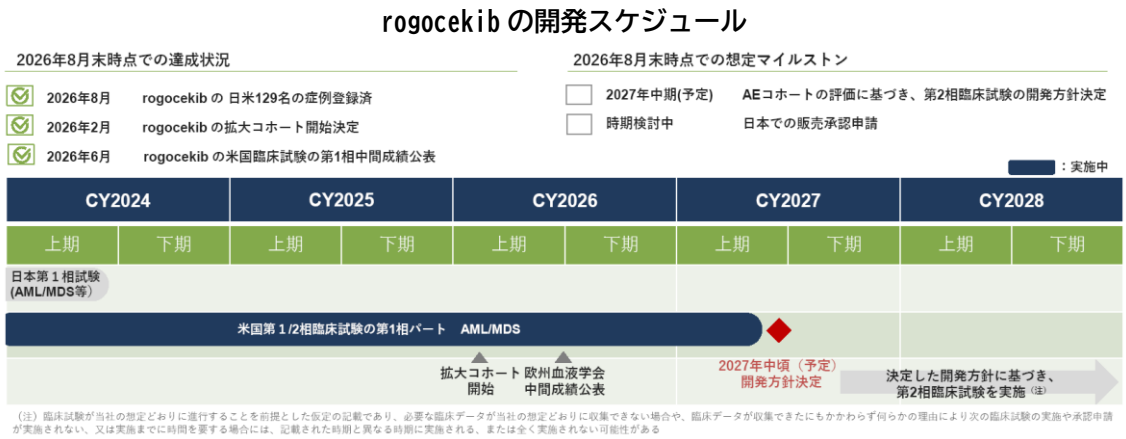
同社は用量漸増試験の結果を踏まえて、用法・用量を絞り込んだ IE を 2026 年 3 月より開始した。予定症例数 28 例の登録を同年 9 月までに完了しており、同結果を踏まえて、用法・用量を少なくとも 2 条件、対象がん種を 1 種に絞り込んだうえで、AE へ移行する予定である（予定症例数は 30～40 例）。IE では前治療歴が 1～3 回の患者に限定するなど、状態の良い患者で実施していることから好結果が期待される。IE の結果を発表するか否かは、治験担当医師の意見も踏まえて決める意向だが、2027 年中の国際学会で発表する可能性がある。

AE については日本でも実施すべく PMDA と協議を行う予定である。順調に進めば 2027 年中ごろには AE のトップラインの成績が判明する見通しで、同結果を踏まえて第 2 相臨床試験の開発方針を決定する。第 2 相臨床試験は日本を含めた国際共同臨床試験とする予定で、資金負担も考えて共同開発パートナーの探索も併せて進めていく。また並行して、AML 患者が罹患しやすい真菌感染症の治療薬との薬物相互作用を見る試験も実施する予定である。なお、rogocekib の臨床試験は単剤治療で実施しているが、既存治療薬との併用療法の可能性についても検討することにしている※。

※ CLK 阻害薬の開発を進める競合企業が単剤またはベネトクラクスとの併用療法で第 1/1b 相臨床試験を実施しており、併用療法において骨髄芽球減少の指標で良い数値が出たため。

rogocekib は AML を対象に、米国及び日本でオーファンドラッグ指定を受けているほか、2026 年 9 月には AMED が公募した「革新的医療技術研究開発推進事業（産官学共同型）グローバルタイプ（難病・希少疾病治療グローバル研究開発支援事業）」に同社の開発プロジェクトが採択され、開発費用に関して最大 15 億円の支援（補助対象経費の 2 分の 1）を得られるなど、開発成功に向けて着実に進んでいるものと思われる。今後実施する第 2 相臨床試験で良好な結果が得られれば、日米で販売承認申請に進むことが予想される。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.



出所：決算説明資料より掲載

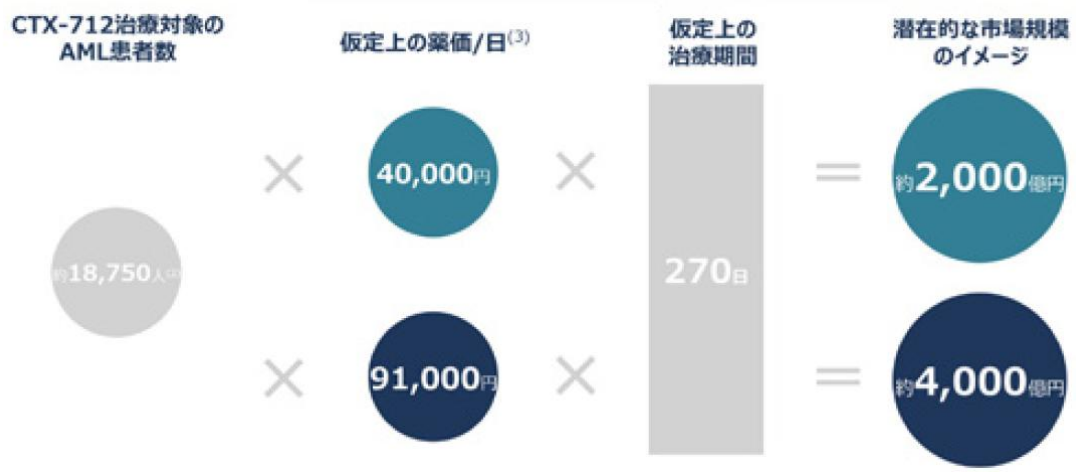
（2） 2 次治療以降の AML 治療薬としての潜在市場規模

AML の患者数は日米欧の主要国で年間 5 万人程度と推計されており、このうち 1 次治療の効果がない、または再発した患者が 2 次治療に進むことになる。その確率は最大で 50%と見ており、このうち治療薬のある遺伝子変異（FLT3、IDH1/2 等）を持たない患者と、当該治療薬が効かずに 3 次治療へ進む患者が rogocekib の最初のターゲットである。同社では最大で約 18,750 人の患者数がターゲットになると試算している。

これらターゲット患者数に、既存薬を参考にした 1 日当たり薬価（4 万円～9.1 万円）と平均治療期間（約 270 日）を掛けあわせたものが潜在市場規模となり、計算では 2,000～4,000 億円である。また、AML の患者数は増加傾向にあり、潜在市場規模も同様のペースで拡大すると見られる。既に上市している競合品もあるが、臨床試験の結果次第では先行品を上回るシェアを獲得できる可能性もあり、成長ポテンシャルは大きいと言える。また、2 次治療以降の AML 治療薬として販売承認が得られれば、1 次治療やその他のがん種にも順次適応拡大を進め、製品価値の最大化を図る。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

AML 2 次治療以降における潜在的市場規模の推定



出所：決算説明資料より掲載

（3） 国内の製造販売体制と海外戦略

日本では自社で製造販売する方針で、製造については 2022 年に協業に関する基本合意書を締結したシオノギファーマに委託する意向であるが、シオノギファーマが 2027 年 4 月に親会社である塩野義製薬に吸収合併されることになり、契約見直しリスクに対応するため、新たな製造委託先の探索についても検討を進めている。また、物流や販売促進活動については業務提携先のメディパルホールディングスが担うことになる。一方、米国等での販売についてはグローバル製薬企業とライセンス契約を締結して市場を開拓する方針であり、共同開発も含めた交渉を進めていく。日本も含めた契約とするかどうかについては、製品価値の最大化を目指すという基本方針に沿って柔軟に対応する意向である。

（4） CLK 阻害薬の競合他社の状況

CLK 阻害薬を開発しているバイオベンチャーとして、米国の BlossomHill Therapeutics<BLSM>がある。2024 年 6 月より再発・難治性 AML 及び高リスク MDS を対象とした第 1/1b 相臨床試験（予定症例数 170 名）を開始しており、2027 年に完了見込みである。第 1 相のパート 1 では単剤療法の用量漸増試験（約 50 症例）を、パート 2 ではベネトクラクスとの併用療法による用量漸増試験（約 48 症例）をそれぞれ実施し、安全性、忍容性及び薬物相互作用を確認する。第 1b 相試験では単剤及び併用療法にて拡大コホートによる用量漸増試験を行い、安全性、忍容性及び初期の抗白血病活性を評価する。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2026 年 6 月に第 1/1b 相臨床試験の初期臨床データを発表しており、発表資料によれば安全性、忍容性が確認され、薬物相互作用について有意な問題は見られなかったとしている。有効性については、評価可能な患者数のなかで芽球減少率が 50%以上だった患者の比率が、単剤療法では 28.6%（6/21 例）、併用療法では 53.3%（5/15 例）だったとしている。併用療法の患者のうち 87%（13 例）はベネトクラクスの治療歴がある患者であり、併用療法での薬効が高いことが示唆された。なお、既述のとおり同社が実施した第 1/2 相臨床試験の中間成績では単剤療法で 37.0%（10/27 例）と競合薬を上回っているが、併用療法に対しては下回っており、これが同社でも併用療法での開発を選択肢として検討する要因である。

CLK 阻害薬の開発では同社が最も先行している状況であり、物質特許も既に世界主要 51 ヶ国で権利化済みである。血液がん領域では多くの企業が治療薬の開発を進めており、ライセンス契約交渉においても競争環境は厳しいが、現在実施している拡大コホート試験で良好な結果が得られれば、契約締結に大きく前進するものと期待される。

その他パイプラインは早期導出や共同開発パートナーの探索に注力

2. その他パイプライン

（1） CTX-177（MALT1 阻害薬）

MALT1※阻害薬は難治性リンパ腫向けの治療効果が期待される開発パイプラインで、前臨床試験実施後の 2020 年に小野薬品工業に対して早期導出を実現した。小野薬品工業は 2022 年に米国で再発・難治性の非ホジキンリンパ腫または慢性リンパ性白血病を対象とした第 1 相臨床試験を開始したほか、日本でも 2024 年より再発・難治性非ホジキンリンパ腫を対象とした第 1 相臨床試験を開始した。しかし、2025 年 4 月に戦略上の理由により開発を中止するとの通知を受け、これに伴いライセンス契約も解消した。小野薬品工業で実施した第 1 相臨床試験のデータや知財関係も含めてすべての権利が同社に移管された。

※ MALT1（粘膜関連リンパ組織リンパ腫転座タンパク質 1）の活性化は、一部の白血病やリンパ腫など血液がんにおいて重要な役割を果たすことが報告されている。

契約解消を受けて、同社は導出活動を再開したが 2026 年 10 月時点で新たな進捗はない。ただ、同社では CTX-177 は依然として高い科学的ポテンシャルを有していると考えており、再導出だけでなく共同開発パートナーの探索や自社開発を含めた様々な選択肢を検討しており、同パイプラインの価値向上を目指している。2026 年 4 月には世界保健機関より医薬品国際一般名称「ocipumaltib」が付与されるなど、商用化に向けた活動も一歩前進した。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2026 年 7 月には宮崎大学、京都大学、（国研）国立がん研究センター等との共同研究成果が、Cell Press 発行の国際学術誌 iScience に掲載された。成人 T 細胞白血病/リンパ腫（以下、ATL）に対する MALT1 阻害薬の研究をテーマとした論文で、要旨としては「一部の ATL 細胞株及び ATL 患者由来移植モデルにおいて、MALT1 活性が腫瘍増殖に重要であることが示唆され、これらのモデルにおいて MALT1 阻害による抗腫瘍効果が認められた」としている。ATL は HTLV-1 ウイルス※の感染が原因で発症する血液がんの一種で、感染しても必ずしも発症するわけではなく、発症率は 2～5%とされている。患者数の正確なデータはないが、日本では年間約 1,000 人が発症すると言われている。現在の治療法は多剤併用療法が実施されているが、依然として新たな治療選択肢が求められている難治性疾患の 1 つであり、同疾患を対象とした開発が進む可能性もある。

※ HTLV-1（ヒト T 細胞白血病ウイルス 1 型）ウイルスは、主に母子感染、性的接触、輸血などにより感染する。

なお、MALT1 阻害薬の他社開発状況としては、米国のバイオベンチャーである Schrodinger<SDGR>が 2023 年より再発・難治性リンパ腫を対象とした第 1 相臨床試験（予定症例数 98 例）を実施しており、2025 年 6 月に初期臨床データを発表した。安全性・忍容性に問題はなく、45 症例のうち完全奏効である CR 率は 0%だったものの部分奏効も含めた全奏効率では 22%と良好な結果を得られたとしている。今後は BTK や BCL-2 阻害剤など他の抗がん剤との併用療法での試験も実施し、2027 年の終了予定である。また、Recursion Pharmaceuticals<RXRX>の子会社が 2025 年より再発・難治性リンパ腫を対象とした第 1 相臨床試験（予定症例数 85 例）を開始しており、2028 年の終了を予定している。

（2） CTX-439（CDK12 阻害薬）

CTX-439 は、RNA 転写の主に終結反応を制御する役割を果たす CDK12 キナーゼ阻害薬である。CDK12 の機能を阻害すると転写が早期終結して短鎖型 mRNA が生じ、機能の劣ったタンパク質が翻訳され、特に DNA 損傷応答に関わる遺伝子群への影響が大きいとされる。同社では卵巣がんや乳がんなど固形がんを対象にした研究開発を進め、2024 年には臨床試験開始に必要な前臨床データを取得した。ただ、第 1 相臨床試験を実施するには少なくとも 10 億円程度の開発資金が必要になるため、導出活動や共同開発パートナーの探索を優先して進めている。これら活動を支援する材料として、2026 年 6 月に 2 本の論文が発表された。

1 本目は、感受性バイオマーカー※1の同定に関する京都大学との共同研究成果であり、Cell Death & Disease 誌に掲載された。同論文では、乳がん及び卵巣がん細胞を用いたゲノムワイド CRISPR スクリーニング※2により、CDK ファミリーに属する CDK10 が、CTX-439 の感受性バイオマーカーとして同定されたとしている。さらに、CDK10 を欠損させたがん細胞及びそれらをマウスに移植した動物モデルを用いた検証で、CDK10 の機能欠損が CTX-439 の抗腫瘍効果を増強することが確認されるなど、今後の開発を進めるにあたって有力な知見を得られたとしている。なお、同研究は AMED の「革新的がん医療実用化研究事業」に採択され、助成金を受けて実施したものである。

※1 薬剤の治療効果の出やすさ（どの患者に効きやすいか）を予測する、遺伝子やタンパク質などの指標。
※2 細胞内に存在する遺伝子を対象に、それぞれの遺伝子の働きを個別に抑えることで、薬の効き方などに影響する遺伝子を網羅的に調べる研究手法。

2 本目の論文は、CTX-439 の創製に至る創薬化学研究の成果報告であり、ACS Medicinal Chemistry Letters 誌でオンライン掲載されたものである。CTX-439 の創製が独自骨格を有するリード化合物を出発点とし、X 線結晶構造解析を活用した構造ベースの創薬と戦略的な化合物最適化を通じて達成されたもので、がん細胞における転写制御を標的とした次世代がん治療薬開発を目指す同社の創薬研究の進捗を示すものである。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

（3） GCN2 阻害薬

GCN2 阻害薬は、GCN2 キナーゼの働きを阻害する化合物である。GCN2 は細胞内アミノ酸濃度をモニタリングしているタンパク質で細胞内アミノ酸濃度が低下した状態で活性化される。GCN2 の機能を阻害するとアミノ酸の細胞外からの取り込みや新規合成が進まなくなり、アミノ酸枯渇状態になって細胞死が誘導される。アスパラギナーゼなどのアミノ酸濃度を低下させる既承認薬との併用で抗がん作用を発揮することが期待される。現在の開発ステージは前臨床試験段階にあり、研究開発リソースを rogocekib に注力するなか、早期のパートナリングも含めた幅広い可能性を検討している。

なお、GCN2 阻害薬に関しては 2025 年 8 月より眼科疾患治療薬としての開発の可能性を探るべく千寿製薬（株）と共同研究を開始している。

（4） その他の研究等

眼科疾患治療薬の開発については、2025 年 7 月よりデ・ウエスタン・セラピテクス研究所<4576>と、GCN2 阻害薬とは別の低分子化合物（非公開）で共同研究を開始している。

開発パイプライン

開発コード（ターゲット）	一般名称	主な適用がん種	地域	開発ステージ	現時点での想定オプション
CTX-712（CLK）	rogocekib	AML/MDS、卵巣がん、その他固形がん	日本	第 1 相臨床試験終了	日米：自社開発/提携
		AML/MDS	米国	第 1/2 相臨床試験中	
CTX-177（MALT1）	ocipumaltib	リンパ系腫瘍	米国・日本	第 1 相臨床試験	提携
CTX-439（CDK12）	-	固形がん	-	前臨床試験終了	提携
なし（GCN2）	-	固形がん、血液がん	-	前臨床試験	提携
なし（非公開）	-	固形がん、血液がん	-	前臨床試験	提携

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

業績動向

2026 年 8 月期は研究開発費の減少で損失額が縮小

1. 2026 年 8 月期の業績概要

2026 年 8 月期の業績は事業収益の計上がなく、営業損失で 1,473 百万円（前期比 316 百万円減）、経常損失で 1,450 百万円（同 319 百万円減）、当期純損失で 1,455 百万円（同 330 百万円減）と損失額が縮小した。

2026 年 8 月期業績

（単位：百万円）

	25/8 期	26/8 期		前期比	予想比
	実績	期初予想	実績		
事業収益	-	-	-	-	-
研究開発費	1,425	1,590	1,154	-270	-435
rogocekib	1,067	1,131	795	-272	-336
CTX-177	0	17	10	10	-7
CTX-439	27	22	19	-8	-3
その他（人件費含む）	331	420	330	-1	-90
販売費及び一般管理費	364	418	318	-45	-99
営業損益	-1,789	-2,008	-1,473	316	534
経常損益	-1,769	-1,958	-1,450	319	507
特別損益	-13	-	-2	11	-
当期純損益	-1,785	-1,960	-1,455	330	504

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業費用の増減要因について見ると、研究開発費は 1,154 百万円（前期比 270 百万円減）となり、内訳は rogocekib で 795 百万円（同 272 百万円減）、CTX-177 で 10 百万円（同 10 百万円増）、CTX-439 で 19 百万円（同 8 百万円減）、その他（人件費含む）で 330 百万円（同 1 百万円減）となった。rogocekib に関しては、米国での第 1/2 相臨床試験が順調に進捗し、IE の開始及びマイルストン達成に伴う費用計上により、米国 CRO（開発業務受託機関）への支払費用が 248 百万円増加した一方で、前期に一定量を確保した臨床試験用の原薬及び製剤関連費用が 521 百万円減少した。販売費及び一般管理費については、減資の実施に伴う外形標準課税の減少や、特許関連費用、固定費の削減等に取り組んだことにより、同 45 百万円減の 318 百万円となった。

営業外収支は前期比 3 百万円改善した。新株予約権発行費及び株式交付費を 21 百万円計上したほか為替差損が 6 百万円増加した一方で、AMED からの助成金収入が 32 百万円増加したことによる。また、期初予想に対して、営業損失は 534 百万円減少したが、主には、rogocekib の原薬・製剤関連費用が減少したことや、販売費及び一般管理費の削減に取り組んだことが要因である。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2027 年 8 月期業績予想は非開示だが、すべてのパイプラインで提携の機会を追求

2. 2027 年 8 月期の業績見通し

2027 年 8 月期の業績予想については、パイプラインの進捗など業績に与える影響を合理的に見積もることが困難なことから非開示としている。主な事業目標として、リードパイプラインである rogocekib に関しては、拡大コホート試験を着実に進め、2027 年中ごろを目途に第 2 相臨床試験の開発方針を決定する。また、rogocekib を含むすべてのパイプラインについて、国内外問わず共同開発や導出などの機会を追求していく。財務面では、2026 年 9 月に発行した第 12 回新株予約権の行使により資金調達を進めていくほか、AMED からの助成金の活用により開発費負担の軽減を図っていく。なお、研究開発費については 2026 年 8 月期下期（644 百万円）の水準が続く見通しで、前期比では若干の増加が見込まれる。固定費については引き続き効率化に取り組む方針である。

当面の開発資金は、手元資金に加え、新株予約権や AMED 助成金等を活用

3. 財務状況

2026 年 8 月期末の財務状況を見ると、資産合計は前期末比 566 百万円減少の 2,114 百万円となった。営業活動による支出が 1,418 百万円あった一方で、新株予約権の行使により 927 百万円を調達した結果、現金及び預金が同 496 百万円減少の 2,052 百万円となった。

負債合計は前期末比 55 百万円減少の 188 百万円となった。主に未払金が 26 百万円減少したことによる。また、純資産合計は同 511 百万円減少の 1,925 百万円となった。当期純損失 1,455 百万円を計上した一方で、新株予約権の行使に伴い資本を増強した。

2026 年 8 月期末の現金及び預金残高が 2,052 百万円と同社が目安とする事業活動資金 1 年分に近づいてきたことに加え、rogocekib の第 2 相臨床試験費用などの資金需要が見込まれることから、財務面での柔軟性を確保することを目的に、2026 年 9 月に第三者割当による第 12 回新株予約権を発行し、併せて第 9 回新株予約権の取得及び消却を実施した。また、第 12 回新株予約権の行使による資金調達を優先するため、第 10 回及び第 11 回新株予約権については行使停止を行った（停止期限は、第 10 回が 2027 年 9 月 24 日、第 11 回が 2028 年 9 月 25 日まで）。

第 12 回新株予約権（1,842 万株相当、希薄化率 23.8%）の当初行使価額は 82 円（下限行使価額 41 円）で、当初行使価額ですべて行使された場合は約 15 億円の資金を調達できることになる。なお、2026 年 10 月末までに 130 万株分が行使された。調達資金は、rogocekib の第 1/2 相臨床試験費用に充当していく予定である。具体的には、拡大コホート実施に関わる費用 27 億円※のうち 11 億円（支出予定時期：2027 年 8 月期第 1 四半期～2028 年 8 月期第 1 四半期）、薬物相互作用の検討に関わる費用 11.5 億円のうち 4 億円（同：2027 年 8 月期第 4 四半期～2029 年 8 月期第 1 四半期）を充当する。なお、第 2 相国際共同臨床試験を実施する際には、資金負担も大きくなることが予想されるため、引き続き導出活動や共同開発パートナーの探索を進めていく予定である。

※　27 億円のうち、残りの 16 億円は株式上場時に調達した資金と第 9 回新株予約権の行使により調達した資金で充当中である。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

貸借対照表

（単位：百万円）

	23/8 期末	24/8 期末	25/8 期末	26/8 期末	増減
流動資産	4,891	4,605	2,669	2,102	-566
（現金及び預金）	4,799	4,329	2,548	2,052	-496
固定資産	17	26	12	11	-0
資産合計	4,909	4,632	2,681	2,114	-566
負債合計	408	471	244	188	-55
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産合計	4,500	4,161	2,437	1,925	-511
（安全性）					
自己資本比率	91.2%	89.8%	90.8%	90.7%	-0.1pp
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

rogocekib の価値最大化に向けリソースを集中投下、提携戦略も全方位で推進

4. 今後の事業方針

同社は「『日本発』『世界初』のこれまでにない新しい抗がん薬を、一日でも早く患者様のもとに。」をスローガンに、2030 年ビジョンとして掲げた「日本発の研究開発型の製薬会社になる」ことを目指している。国内についてはアライアンス戦略による自社製造販売だけにこだわらず提携戦略も推進し、海外市場ではグローバル製薬企業への導出や提携など形態を限定せず、効率的に事業を拡大していく方針である。

開発戦略としては、当面は早期収益化の実現を目標に、rogocekib の開発に経営リソースを集中し、その他のパイプラインについては開発コストを抑えながら、早期導出やパートナー戦略等によって収益化をねらう。rogocekib については、再発・難治性 AML の米国及び日本での販売承認を得ることを最優先に取り組み、その後は AML の 1 次治療やその他のがん種への適応拡大を進めることで製品価値の最大化を目指す。既述のとおり潜在市場規模は大きく、ブロックバスターとして育つポテンシャルを持つことから、現在実施している拡大コホート試験の結果が注目される。良好な結果が得られれば、第 2 相臨床試験開始までにライセンス契約あるいは共同開発契約が締結される可能性もあると弊社では見ている。拡大コホートの実施により、承認申請目標は当初の 2028 年後半からずれ込む可能性が高くなったが、再発・難治性 AML において有効な治療薬を求める声は今なお強く、rogocekib がこうしたニーズを満たす治療薬になることを期待したい。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

重要事項（ディスクレーマー）

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・表示したものですが、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、企業から報酬を受け取って作成されています。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