



2024年5月20日

各位

会社名 クリングルファーマ株式会社
住所 大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号
彩都バイオインキュベータ207
代表者名 代表取締役社長 安達 喜一
(コード番号: 4884 東証グロース)
問い合わせ先 取締役経営管理部長 村上 浩一
TEL. 072-641-8739

2024年9月期 第2四半期 決算説明会 質疑応答について

2024年5月17日(金)にオンラインにて開催いたしました2024年9月期 第2四半期決算説明会での質疑応答の要旨は以下のとおりです。

※本資料の記載内容は決算説明会での質疑応答をそのまま書き起こしたのではなく、ご理解いただきやすいように一部加筆修正をしております。あらかじめご了承ください。

※2024年9月期第2四半期 決算説明会の動画は、こちらのURLからご覧ください。

<https://youtu.be/DEemkLSj0m4>

【事前にいただき当日回答させていただいた質疑応答内容】

ご質問1

第1四半期の決算発表時には、脊髄損傷急性期第Ⅲ相試験のトップラインデータの速報発表と同時に脊髄損傷急性期に関して国内での製造販売承認申請を進めて行くという説明でしたが、その後の状況はどうなのでしょうか？

回答1

製造販売承認申請の前に、PMDAとは2つの面談が必要となります。はじめに、今後の申請に向けての大まかな課題整理が行われる「事前面談」、その次に具体的な申請書類等の内容を確認する「申請前相談」となります。現在、PMDAと「事前面談」を実施しているところです。面談内容の詳細は申請上の機密情報に当たりますので、非開示とさせていただきます。「事前面談」において、PMDAより追加の資料を求められている状況ですので、現状はひとつひとつ前に進んでいる途中ではないかと考えております。

ご質問2

脊髄損傷急性期の承認申請に向けての、HGFタンパク質の製造の状況について、教えてください。残された課題(品質面、体制の整備等)はございますでしょうか。他社で問題となったような、同等性の問題はございますでしょうか。

回答2

HGFタンパク質の製造に関しましては、原薬及び製剤ともに(決算短信等でも開示させていただいている通り)承認申請に必要な実製造と同様のプロセスで行う試験製造(いわゆるプロセスバリデーション)を終了しております。承認申請の前に第一種医薬品製造販売業許可を取得する必要がありますので、社内体制(いわゆる三役の配置)を含め業許可申請の準備を進めております。

また、同等性／同質性につきましては、HGF タンパク質製剤の中で特に品質への影響の大きい原薬の製造方法を第Ⅲ相臨床試験用治験薬と商用製剤で変更しておりませんので、問題にはならないと考えています。

ご質問 3

声帯癒痕のオーファン指定に関して、特に開示がありませんが、申請自体はされているのでしょうか？

回答 3

オーファン指定の申請に関しましては、2023 年に厚労省とオーファン指定相談を行いました。申請には至りませんでした。その後、2024 年 1 月にオーファン指定制度の指定範囲拡大の通知が厚労省より出され、致命的な疾患のほか、著しく生活の質を落とす状態が長期的に継続する疾患も指定対象となりました。当社としましては、声帯癒痕の要件該当性も高くなったと考えますので、関連学会による診断基準設定後に再度厚労省とオーファン指定相談を行いたいと考えております。

ご質問 4

先日、東北大学との共同研究として ALS 第Ⅱ相試験の追加解析を行うという開示がありましたが、状況はどのようなのでしょうか？また、追加解析の結果はいつ公表されるのでしょうか？

回答 4

今回の共同研究は、医師主導治験として行った ALS 第Ⅱ相試験の患者様の検体を用いて、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ことを目的としております。ALS に関しては、「ニューロフィラメント軽鎖」がバイオマーカーとして米国 FDA から認められました。本共同研究でも、「ニューロフィラメント軽鎖」を含め数種のバイオマーカーを解析いたします。東北大学での進捗にもよりますが、恐らく今年度中には追加解析の状況や結果をお示しできるのではと考えております。

ご質問 5

脊髄損傷急性期の米国での治験開始に向けて FDA との事前協議を行う準備を進めているとのことでしたが、その進展については何かありましたでしょうか？

回答 5

昨年 11 月の FDA からの Pre-IND ミーティングに対する回答に基づき、現在 IND 申請に向けて、治験デザインの内容を北米の専門医（キーオピニオンリーダー、KOL）やコンサルタントと協議を進めているところです。国内で実施した脊髄損傷急性期第Ⅰ/Ⅱ相、第Ⅲ相試験の結果を様々な切り口で解析し、より成功確度の高いプロトコルを策定していく予定です。

引き続き、米国での開発は、米国に精通した提携パートナーと共同で臨床開発を進める方針であり、複数の製薬・バイオ企業と交渉を継続しております。

ご質問 6

クラリス社が米国で実施している第Ⅰ/Ⅱ相試験はいつ終了する予定でしょうか？

回答 6

クラリス社によれば、神経栄養性角膜炎を対象とする米国とカナダでの第Ⅰ/Ⅱ相試験は組入れを終了し、現在データ固定作業を進めていると聞いております。クラリス社との守秘義務がございますので詳細は開示できませんが、同

社のウェブサイトではトップラインデータを 2024 年上期に発表する予定と書かれておりますので、今しばらくお待ちいただければと思います。

ご質問 7

現在行われている第 13 回新株予約権発行による資金調達について、これまでの実績、現在実行中の内容、これから実行予定の内容、それぞれにかかる金額等を教えていただけますでしょうか？

回答 7

4 月末までに今回の新株予約権の発行による資金調達額は約 760 百万円となります。

また、今回の調達資金の使途といたしましては、2023 年 10 月から 2 年間にかけて

①脊髄損傷急性期を対象とする米国での臨床開発及び製造開発 に 600 百万円

②新規パイプラインの創製 に 120 百万円

③運転資金 に 100 万円

合計 820 百万円となっております。

4 月末時点であと 2,290 個の新株予約権を残しておりますので、累計で 8 億後半から 9 億円程度の調達になるかと推測しております。

どの資金使途につきましても、まだ半年経過という状況ですので、ほとんど費消は進んでおりません。

【事前にいただき当日回答出来なかった質疑応答内容】

ご質問 8

先日の IR で、オーファン助成金が 3,500 万円ほど見込みより多く貰えたとのことですが、何故、見込みより増額になったのでしょうか？

回答 8

オーファン助成金の金額根拠につきましては、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所からその根拠等について開示いただいております。

オーファン助成金は、毎年「脊髄損傷急性期」を対象とする組換えヒト HGF タンパク質製剤の開発にかかった 1 年間の開発費用全額を対象として助成金申請しております。その開発費用に対して、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所が審査の上、その年の予算と申請件数に応じて、開発費用の一部を補助いただくという仕組みになっております。

すでに「原則 3 年」の期間を越えておりますが、当該パイプラインの開発が順調に進んでいることが評価された結果、前期を上回る助成額になったのではないかと考えております。

ご質問 9

声帯癬痕の第Ⅲ相試験の進捗ですが、先日新たな施設の追加を開示されました。現在の進捗状況は順調なのでしょうか？

回答 9

当初計画していた 5 施設の立ち上げに時間を要した結果、想定よりも症例組入れに時間がかかっている状況でしたので、5 月 16 日に開示させていただいた通り、新たに山王メディカルセンターを治験実施施設として追加し、リクルーティング活動を強化していきたいと考えています。山王メディカルセンターは都心の真ん中にあり、患者様のアクセスも良好ですので、組入れの更なる加速が期待されます。本試験は、引き続き 2024 年中には組入れを完了し、

2025 年中の経過観察終了を目指して参ります。

ご質問 10

現在の MS ワラントが終了した後の今後の資金調達の方針について教えてください。

回答 10

国内の 2 本のレイトステージパイプライン「脊髄損傷急性期」「声帯癥痕」に対する開発資金につきましては、すでに調達済みとなりますので、今後資金調達を行うことがあるとすれば、新たなパイプラインの開発資金になるかと思えます。ただし、脊髄損傷急性期が国内で上市まで進んでいけば、それに関連する売上が立っている状況ですので、それらの売上で開発資金を賄える可能性もあります。一方で、米国での脊髄損傷急性期の臨床試験を念頭におけば、かなり大規模な資金が必要になることが想定されます。コスト・プロフィットをシェアできる提携先の獲得を最優先に考えますが、提携先との経済条件が折り合わない場合は、新たな資金調達を検討する可能性はあると考えております。

【当日いただいた質疑応答内容】

質問 1

脊髄損傷に関して、現在製造販売承認申請に向けて事前面談を進めているとのことでした。申請前相談、申請にむかえる可能性を御社はどの程度想定されておりますか？申請が難しい場合、どのような条件が提示される可能性が考えられますか？

回答 1

PMDA との細かな交渉状況は、審査上の守秘事項となりますので、詳細にはお話しできませんが、現在、事前面談を通して PMDA からの指摘事項への対応を進めています。最終的に PMDA からどのような回答が得られるかは、見えづらいところではありますが、今回の第Ⅲ相試験や第Ⅰ/Ⅱ相試験を通じて重症度の異なる様々な患者さんに対して改善傾向が見られるデータが得られていますので、今後それらのデータを様々な角度から解析を行い PMDA 向けの資料作成を進めてまいります。当社といたしましては、それなりにハードルは高いとは思いますが、自信をもって進めたいと考えております。

質問 2

台湾にも脊髄損傷の開発を進めている企業があったと思いますが、御社の優位性について教えてください。

回答 2

恐らく Eusol Biotech 社のことかと思いますが、同社は FGF という HGF とは異なるタンパク質を用いた治験を進めているとの開示を行っています。ただ、同社のホームページの情報は長期間更新が行われていない状況でもあり、どこまで進捗しているかは見えにくい状況です。一方で、当社は既にⅠ/Ⅱ相試験、Ⅲ相試験を終えている状況であります。また、脊髄損傷急性期の 2 次損傷を抑制する効果は FGF より HGF の方が優れていると考えています。加えて、同社の臨床試験は、脊髄損傷急性期だけではなく亜急性期、慢性期までをターゲットとしており、なかなか効果の判定が難しいのではないかと考えております。

質問 3

バイオ製薬企業になるにあたり、人材確保、育成が重要になってくると思いますが、今後どのように確保、育成していこうと考えてらっしゃいますか？

回答3

私たちが「バイオ製薬企業」へと成長していくためには人材が非常に重要となります。また、「創薬」の世界では、創薬に実際に携わった経験も重要な要素です。現在、大手の製薬企業をリタイアされた後、更なる活躍の場として当社のような「創薬ベンチャー」で活躍したいという方が多くいらっしゃいます。当社でもそういう豊富な経験をお持ちでかつ、意欲の高い方々を採用しています。同時に当社の成長のためには若手の育成も重要となってきますので、ベテランの方々には豊富な経験を活かしていただくだけでなく、若手の育成にも関与いただくよう、バランスの良い社内体制を作っていくしたいと思います。それが、最終的に「バイオ製薬企業」へと成長していく事につながると考えています。

質問4

脊髄損傷急性期について。欧米での共同開発のパートナーはまさに探している最中という理解でよろしいのでしょうか。現状を教えてください。また、欧米での第Ⅲ相試験の開始時期や申請時期など、開発の今後のスケジュールで決まっていることがあれば教えてください

回答4

現在、海外の共同開発先につきましては、複数社と守秘義務契約を締結して積極的に交渉を進めております。最終的な契約締結までは、詳細な開示は出来ませんが着々と進めているとご理解いただければと思います。6月初めには米国で「BIO」という大きな展示会が開催されます。そちらにも参加し、積極的にパートナーリング活動を展開していきたいと思っておりますので、是非ご期待いただければと思います。

以上