

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 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 >>>

2025年11月20日 (木)

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. CLK阻害薬rogocekibの開発状況と今後の展望	01
2. 業績動向	02
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	08
1. rogocekib	08
2. その他パイプライン	13
■ 業績動向	15
1. 2025年8月期の業績概要	15
2. 2026年8月期の業績見通し	16
3. 財務状況	17
4. 今後の事業方針	18

要約

2028年後半に血液がん向け治療薬rogocekibの承認申請を目指す

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している。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. CLK阻害薬rogocekibの開発状況と今後の展望

現在の開発パイプラインは5つあり、このうちリードパイプラインであるCLK阻害薬rogocekib（以下、rogocekib）※¹（ロゴセキブ）（CTX-712）は日本における第1相臨床試験を完了しており、既存の承認薬と同等レベルの有望な成績が得られている。この結果を踏まえて、血液がん（2次治療以降の急性骨髄性白血病（以下、AML））を対象とした第1/2相臨床試験を米国で実施している（現在は第1相パート）。rogocekibは、mRNA※²生成過程において過剰なストレスを与えることによってがん細胞を死滅させる新しい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1.8万人と見積もられ、薬価と平均治療期間に基づいて算定）。今後においてもAMLの患者数は増加が見込まれており、潜在市場規模も同様に拡大が見込まれている。また、AMLの2次治療以降での承認取得後は、1次治療やその他のがん種への適応拡大を進める方針である。

※¹ rogocekib（CTX-712）は、2024年11月に世界保健機関より、医薬品一般名称「rogocekib」として公開された。

※² 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。

米国における臨床試験の成功確率を高めるために第1相臨床試験で当初予定していた週1回の投与スケジュールに加えて、週2回の投与スケジュールでの試験及びそれらを踏まえた拡大コホート試験も実施することになった。このため、日米で実施予定の第2相臨床試験については2027年から開始する見込みとなり、全症例数も当初予定の170例から225例に増加することになった。同社では治験施設数を増やして早期に臨床試験を完了し、2028年後半に国内での製造販売承認申請を目指す。米国については2026年中頃に発表予定の第1相パートの中間成績をもとにライセンス活動を本格的に開始する予定だ。同適応症で開発に成功すれば1次治療やその他のがん種へと適応拡大を進め、製品価値の最大化を図る。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

要約

2. 業績動向

2025年8月期の業績は事業収益の計上がなく、経常損失で1,769百万円(前期は1,824百万円の損失)となった。rogocekibの臨床試験費用を中心に研究開発費1,425百万円を計上したことが主因だ。2026年8月期もrogocekibの臨床試験を経営の最優先事項として推進し、その他のパイプラインはコストを抑制しながら導出活動を継続していく計画で、研究開発費で1,590百万円、経常損失で1,958百万円を見込んでいる。2025年8月末時点の現金及び預金は2,548百万円となっているが、rogocekibの臨床試験費用は第2相パートに入る2027年8月期にさらに増加する見通しで、開発資金を確保すべく第三者割当による新株予約権を2025年9月に発行した。rogocekibの米国でのパートナー契約締結の可能性は早くても2027年8月期になるため、当面は株式市場から資金調達していくものと思われる。

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。医薬品製造に関してはシオノギファーマ(株)と、国内における流通・販促活動についてはメディカルホールディングス<7459>と2022年に業務提携の基本合意を締結するなど体制整備を進めつつ、海外市場はライセンスアウトにより早期収益化を目指すなど、まずはrogocekibの上市を最優先事項として取り組んでいる。そのほか2020年に小野薬品工業<4528>に導出したCTX-177は、先方の開発戦略見直しにより2025年4月に開発中止と契約解消が発表され、現在は再導出活動を開始している。また、その他パイプラインも眼科疾患治療薬としての可能性を探るべく、千寿製薬(株)やデ・ウエスタン・セラピテクス研究所<4576>との共同研究に着手しており、今後の動向が注目される。

Key Points

- ・ 武田薬品工業からスピンアウトした創薬ベンチャー。低分子化合物の抗がん薬開発に特化し、2024年にグロース市場に上場
- ・ rogocekibは米国で第1/2相臨床試験中。2026年中間成績を第1相の中間成績を発表予定、2027年第2相開始、2028年後半に販売承認申請を目指す
- ・ その他パイプラインは早期導出方針、眼科疾患を対象とした共同研究も開始
- ・ 2026年8月期はrogocekibの開発費増により損失が若干拡大見通し。資金調達体制強化済

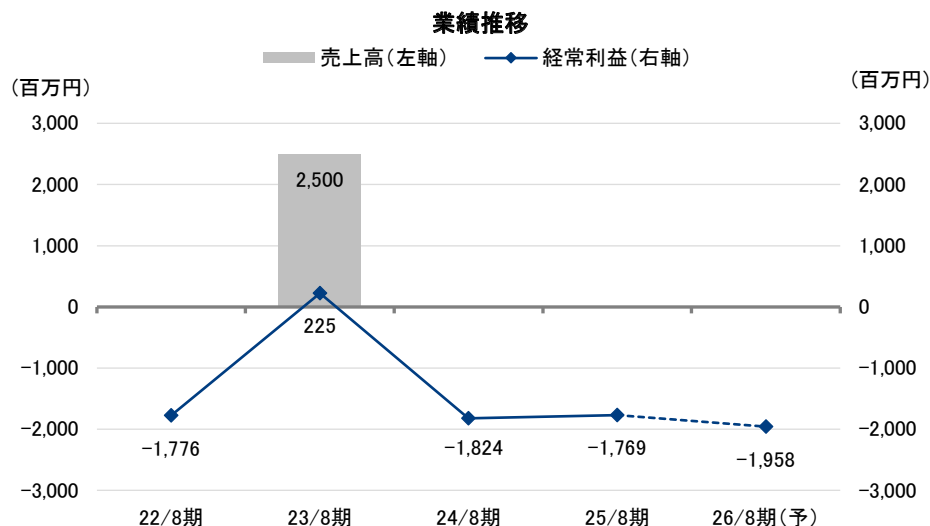
Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

要約



出所：決算短信、会社ホームページよりフィスコ作成

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年頃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だ。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15%を保有する筆頭株主となっていることもあって、同社にとって好ましい条件となっているようだ。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

会社概要

リードパイプラインであるrogocekibは、2018年8月に日本で実施した第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及び骨髄異形成症候群（以下、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される。

※ 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）がつかれなくなる疾患で、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となるシオノギファーマ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、2025年8月末の従業員数は前期末比1名増の23名（うち、Ph.D.12名）で、当面は同水準を維持する方針である。

会社沿革

年月	主な沿革
2017年10月	創業研究を目的として、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（株）、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（株）、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（株）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（株）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の一般名称がrogocekibに決まる
2025年 1月	抗がん薬化合物CTX-712が米国食品医薬品局からオーファンドラッグ指定を受ける
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

出所：有価証券報告書、会社リリースよりフィスコ作成

会社概要

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、一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。ファーストインクラス※の抗がん薬を開発することをミッションに掲げ、その実現を通じて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。

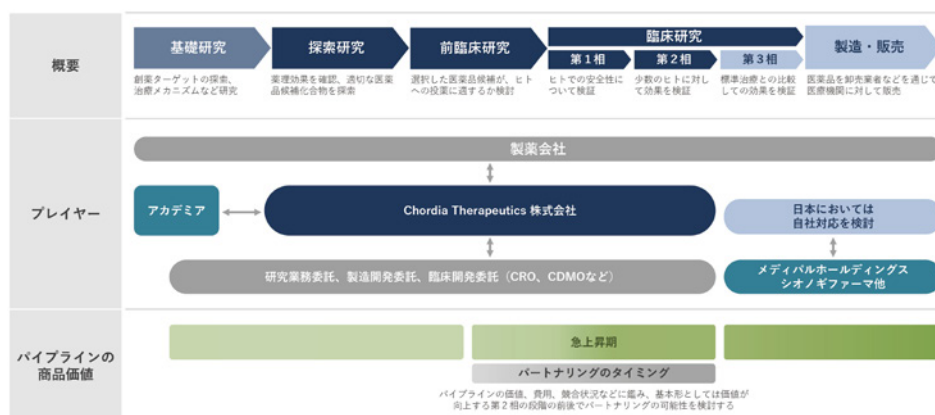
※ 新しくユニークな作用機序により、既存治療と異なる有用性を示す革新的医薬品のこと。

(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、(国研)日本医療研究開発機構 (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には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、競合状況を鑑み、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。

医薬品の開発プロセス



出所：決算説明資料より掲載

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

会社概要

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となっており、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。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

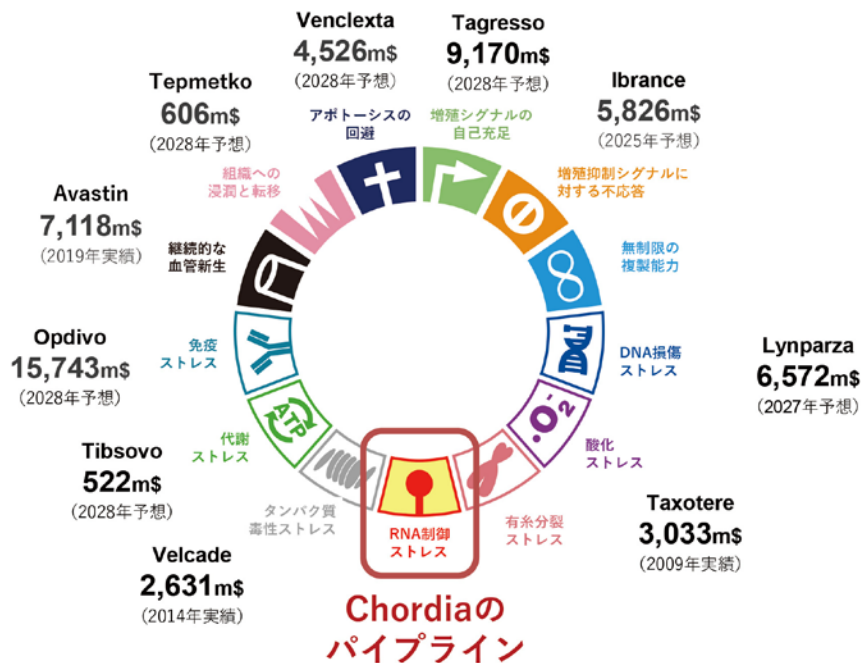
2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

会社概要

RNA制御ストレス

がん細胞の13の特徴とそれに対する抗がん薬の例とピークセールス⁽¹⁾



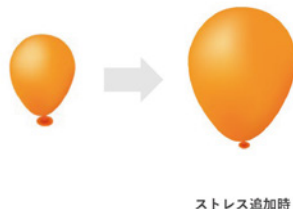
出所：決算説明資料より掲載

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掛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となっている。

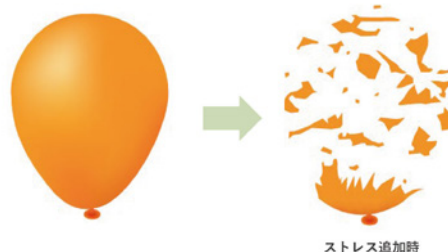
※ CTX-712の第1相臨床試験では、悪心や嘔吐などの副作用が確認されたが、制吐剤を投与することでコントロールが可能なレベルであり、安全性には問題のないことが確認されている。

抗がん薬のコンセプト

正常細胞



がん細胞



出所：決算説明資料より掲載

会社概要

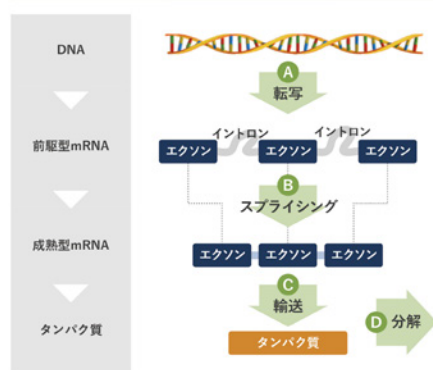
ヒトのタンパク質が生成される過程を簡単に見ると、DNAから遺伝子情報を転写することで前駆型mRNAを生成し、次にタンパク質を作るために必要なスプライシング過程※1を経て成熟型mRNAとなり、さらにトランスファーRNAをタンパク質合成の場に輸送することでタンパク質が生成される。同社はこの転写、スプライシング、輸送などの過程で働きを担う各種キナーゼ※2を阻害する抗がん薬の開発を進めている。

※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



出所：決算説明資料より掲載

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：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、エクソン配列を繋ぎ、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（標的未開示）

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

開発パイプライン

rogocekibの第1/2相臨床試験は拡大コホートを実施、2028年後半の販売承認申請を目指す

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。

Chordia Therapeutics

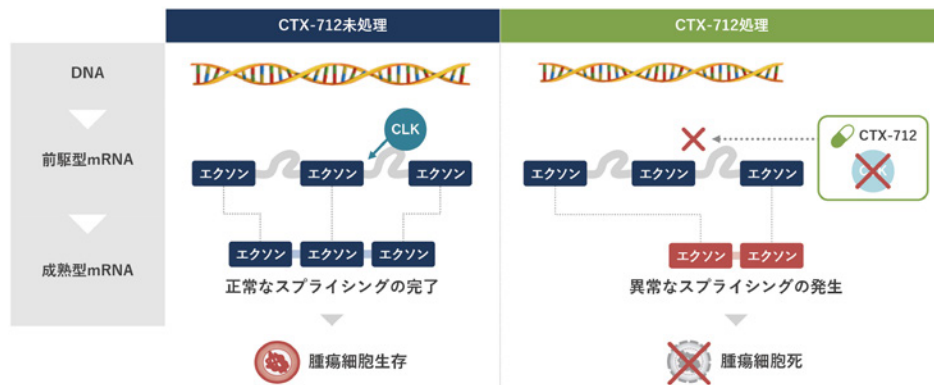
190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

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、標準治療の効果が無い再発・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。試験デザインは、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掛かった正常細胞の状態を元に戻すため。

被験者投与を進めるなかで、血液がんや卵巣がんが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、既述のとおり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4例でPR（部分奏功）※¹が確認されたほか、AML及びMDS計14例（うちAML12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）が確認された。このうち、AML及びMDSの有効性については、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、又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%が何らかの奏功を示した（奏効率56%）。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレマー）をお読みください。

Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

Chordia Therapeutics

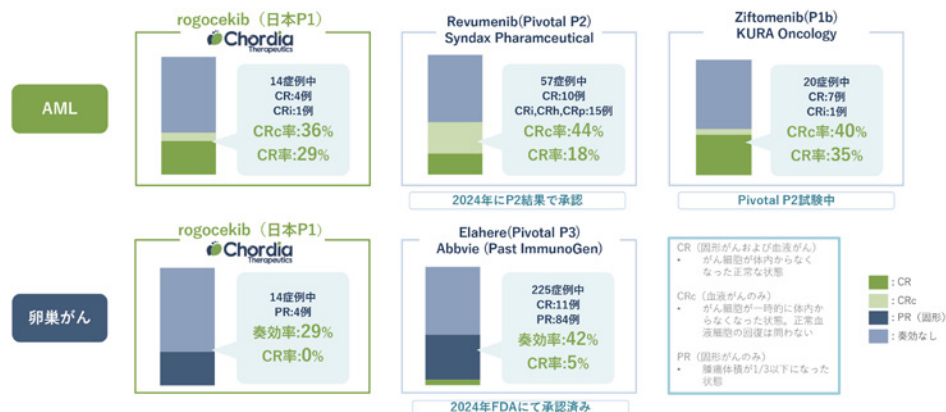
190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

低分子抗がん薬「rogocekib」日本第1相試験の結果



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相関が強いことがわかっている。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%と低いのにに対して、AMLが10～20%、MDSが40%と血液がんでは相対的に高い傾向となっている。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2次治療以降のAML及びMDS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。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html

開発パイプライン

米国での臨床試験は当初、2024年末頃に第1相試験を終え、中間成績を2025年半ばに発表する予定であったが、FDAが2021年に提唱した「プロジェクト・オブティマス※1」に則って、第1相試験の組入れ数を増やす方針に転換した※2。FDAとの協議の結果、2025年9月に発表した臨床試験計画の改訂版によると、第1相パートの用量漸増コホートで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)を追加した※3。合計40例程度の組み入れ数となるが、2025年8月末時点で36例を組み入れ済みで2025年内に完了する見込みだ。加えて、これら用法・用量のなかから良好な結果を得た用法・用量を2〜3パターンに絞り込み、拡大コホートとして60〜70例の組み入れを実施し比較・検討を行うことにし、同結果をもって第2相臨床試験で実施する用法・用量を決定する。当初計画よりも規模を大きくした拡大コホートを実施することで臨床試験期間は長くなるものの、成功確率がさらに高まると同社では見ている。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併用時に適したrogocekibの投与量を決定するための薬物相互作用を見る試験も20例ほど実施する。これらの試験を2027年前半までに完了し、2027年中頃より日米で第2相臨床試験(予定症例数約100例※4)を開始したい考えだ。今回の臨床試験計画の改訂に伴い全体の被験者数は当初予定の170例から225例に増加する。同社では早期に臨床試験を完了するために、治験施設数を現在の6施設から適宜増やしていく方針だ。

- ※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・オブティマス」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 SyndaxのRevumenibの第2相臨床試験症例数57例に対して100例と多いのは、米国だけでなく日本でも実施することや、成功確率を高めるため保守的に計画を立てたためと思われる。

今回の臨床試験計画の変更に伴い、中間成績の発表予定時期についても2025年下期から2026年中頃へと変更した。時期的に見て欧州で6月に開催される血液がん学会での発表が有力視される。なお、販売承認申請については、2028年後半に日本で先駆的医薬品指定制度※を活用した販売承認申請を目指す。米国については中間成績のデータをもとに導出活動を本格的に展開する。中間成績の内容が既存承認薬の成績と遜色なければ、契約締結に大きく前進すると見られるだけにその内容が注目される。

- ※ 治療薬の画期性や対象疾患の重篤性、対象疾患にかかるきわめて高い有効性、世界に先駆けて(または同時に)日本で早期開発・申請する意思・体制などの指定基準を満たした開発品目を先駆的医薬品として厚労省が指定し、審査や相談などを優先的に行うことで早期実用化を目指す制度(通常1年間の審査期間を6ヶ月に短縮することを目標)。

rogocekibの開発スケジュール

2025年8月時点での達成状況

- ☒ 2024年下期 CTX-712の医薬品一般名称(rogocekib)決定
- ☒ 2025年上期 rogocekibのOrphan drug designationの申請
- ☒ 2025年8月末 rogocekibの米国96名症例登録済

現時点での想定マイルストーン

- ☐ 2026 中期 rogocekibの米国臨床試験の第1相中間成績公表
- ☐ 2027 中期 rogocekibの日本/米国臨床試験の第2相試験開始
- ☐ 2028 後期 rogocekibの日本での販売承認申請

■ : 実施中

CY2024		CY2025		CY2026		CY2027		CY2028	
上期	下期	上期	下期	上期	下期	上期	下期	上期	下期
日本第1相試験(AML/MDS等)									
		米国第1/2相臨床試験の第1相パート AML/MDS							
						第2相パートは日米で実施予定 (※)			
								販売承認申請 (※)	

(※) 臨床試験が他社の想定どおりに進行することも前提とした仮定の記載であり、必要な臨床データが他社の想定どおりに収集できない場合や、臨床データが収集できたにもかかわらず他社により次の臨床試験の実施や承認申請が実施されない、又は実施までに時間を要する場合には、記載された期間と異なる結果に反映される、または全く実施されない可能性がある。

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(ディスクレマー)をお読みください。

Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

(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、このうち一次治療の効果がなく、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となる。同社では最大で約1.8万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) を掛け合わせたものが潜在市場規模となり、計算では2,000～4,000億円となる。また、AMLの患者数は、増加傾向にあり、潜在市場規模の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。

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年に協業契約を行ったシオノギファーマに委託する意向だ。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カ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販売ライセンス契約を締結して市場を開拓する方針で、既に複数社と秘密保持契約 (NDA) を結んで情報提供を行っている。既述のとおり、第1相パートの中間成績結果をもって導出活動を本格的に開始する予定で、早ければ2027年8月期中にもライセンス契約締結の可能性がある。同社では製品価値が最大化するような有利な条件を引き出し、ライセンス契約に結び付けたいと考えた。

(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が米国に2社あるが、現段階ではいずれも脅威にはならないと同社では見ている。Biospliceで実施した第1相臨床試験の結果は、単剤投与で奏効率0%という結果に終わっており (6名の患者で10%以上の腫瘍サイズ縮小を確認)、現在は医師主導の臨床試験をサルコマ (肉腫) など固形がんで実施するにとどまっており、有効性をしっかりと示せていない状態と言える。また、Blossom Hill TherapeuticsはAMLを対象とした第1/1b相臨床試験 (予定症例数170名) を2024年6月より開始しており、2026年に完了する見込みとなっている。同社から見ると5年程度遅れており、さらに薬剤もCLK以外のキナーゼを阻害するマルチキナーゼ阻害薬となっているため、副作用リスクが大きくなるリスクも持つと見られる。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

CLK阻害薬の開発では同社が最も先行している状況となっており、物質特許もすでに世界主要51ヶ国で権利化済みとなっている。このため、臨床試験で良好な結果を示せばビッグディールにつながる可能性があり、2026年中頃に発表が見込まれる第1相パートの中間成績の内容が注目される。

その他パイプラインは早期導出方針、眼科疾患を対象とした共同研究も開始

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※、小野薬品工業にて2022年8月に米国で再発・難治性の非ホジキンリンパ腫または慢性リンパ白血病を対象とした第1相臨床試験を開始(1例目の組み入れは2023年2月、目標症例数108例)したほか、日本でも2024年8月より再発・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(目標症例数24例)を開始していたが、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、同社の全権利が戻ることとなった。本件に伴う金銭の授受は発生せず、これまで実施した臨床試験データの移管などを行っている。

※ 契約一時金8億円(2021年8月期)と第1相臨床試験開始に伴うマイルストーン25億円(2023年8月期)を既に受領しており、今後の開発マイルストーン及び商用マイルストーンで最大496億円、並びに売上高に応じたロイヤリティを1ヶ季后半から2ヶ季后半パーセント得る契約となっている。

契約解消を受けて、同社はリンパ腫向け治療薬の開発を行っている100社程度の企業に対して、導出活動を開始しており、このうち数社から関心を寄せられていると言う。第1相臨床試験のデータ内容については不明なため今後の展開は見通し難いものの、上市の可能性のあるデータ結果が取得できているようであれば、再導出できる可能性も十分に考えられ、同社では2026年8月期中の導出を目指している。

難治性リンパ腫では、T細胞シグナルあるいはB細胞シグナル伝達経路の因子(T細胞受容体CD28、B細胞受容体CD79A/B、PLC γ 1、PKC β 、CARD11)にシグナルを活性化する遺伝子変異が起これ、そのシグナルがBTKやMALT1(粘膜関連リンパ組織リンパ腫転位タンパク質1)を経由してNF- κ Bの活性化が引き起こされ、リンパ腫が異常に増殖することが知られている。MALT1阻害薬はこうしたシグナル伝達経路に活性化遺伝子変異を有するリンパ腫に対して、単剤あるいは他剤(BTK阻害剤等)との併用により抗腫瘍効果を示すことが期待されている。

Chordia Therapeutics

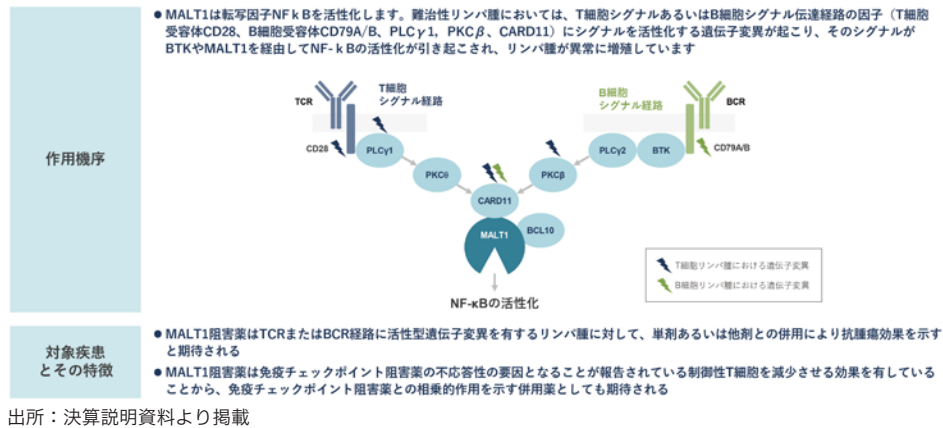
190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

MALT1阻害薬



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52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症例のうち完全奏功となるCR率は0%だったものの部分奏功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おり、2026年に第2相臨床試験に進む可能性が高い。同社では、CTX-177も前臨床試験の結果から少なくとも同程度の有効性は期待できると見ている。また、リンパ腫治療薬の大手であるAbbvie<ABBV>が2023年より第1相臨床試験（予定症例数150例）を実施中で、2027年に終了する見込みとなっている。そのほか、Janssenが2019年より米国で第1相臨床試験を実施していたが、その後新たな情報が発信されておらず開発が止まっている可能性がある。

(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キナーゼ阻害薬となる。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、機能の劣ったたんぱく質が翻訳され、特にDNA損傷応答にかかわる遺伝子群への影響が大きいとされる。同社では固形がんを対象にした単剤もしくは既承認薬との併用による開発を進めており、臨床試験開始に向け2024年に前臨床データを取得した。現在は開発戦略立案に向けたバイオマーカー研究を実施するとともに、臨床試験開始に向けた戦略的パートナーを探索している状況にある。

(3) CRD-099 (GCN2阻害薬)

CRD-099はGCN2キナーゼ阻害薬となる。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、アミノ酸枯渇状態となって細胞死が誘導される。アスパラキ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、現在は化合物の最適化研究を終え、前臨床試験実施に向けて戦略的パートナーを探索している段階にある。

なお、GCN2阻害薬に関しては2025年8月に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と共同研究を開始している。また、眼科疾患治療薬としての開発については同年7月にデ・ウエスタン・セラピテクス研究所ともそのほかの低分子化合物で共同研究を行うことを発表している。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

開発パイプライン

開発パイプライン

プログラム名 (ターゲット)	主要適応がん種	地域	開発状況	開発及び商用化権利
CTX-712 (CLK)	AML/MDS、卵巣がん、その他固形がん	日本	第1相臨床試験終了	自社
	AML/MDS	米国	第1/2相臨床試験中	自社 (販売ライセンス契約先探索)
CTX-177 (MALT1)	リンパ系腫瘍	米国・日本	第1相臨床試験中	自社 (再導出目標)
CTX-439 (CDK12)	固形がん	-	前臨床試験終了	自社 (早期導出目標)
CRD-099 (GCN2)	血液がん、固形がん	-	探索研究	自社 (早期導出目標)
新規パイプライン	血液がん、固形がん	-	探索研究	未定

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

業績動向

2025年8月期は事業収益の計上がなく、前期並みの損失を計上

1. 2025年8月期の業績概要

2025年8月期の業績は事業収益の計上がなく、営業損失で1,789百万円（前期は1,801百万円の損失）、経常損失で1,769百万円（同1,824百万円の損失）、当期純損失で1,785百万円（同1,827百万円の損失）となった。

2025年8月期業績

(単位：百万円)

	24/8期 実績	25/8期		前期比 増減額	計画比 増減額
		会社計画	実績		
事業収益	-	-	-	-	-
研究開発費	1,499	2,025	1,425	-74	-599
rogocekib	1,018	1,610	1,070	52	-540
CTX-177	0	0	0	0	0
CTX-439	132	18	27	-105	9
その他(人件費含む)	347	396	331	-16	-65
その他一般管理費	301	408	364	62	-43
営業利益	-1,801	-2,434	-1,789	11	644
経常利益	-1,824	-2,378	-1,769	55	608
特別損益	-	-	-13	-	-
当期純利益	-1,827	-2,380	-1,785	41	594

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

業績動向

事業費用の増減要因について見ると、研究開発費は1,425百万円と前期比で74百万円減少した。内訳は、rogocekibが米国での第1/2相臨床試験の進捗に伴い同52百万円増の1,070百万円となった一方で、それ以外のパイプラインはコスト抑制に努めたことで、CTX-439が同105百万円減の27百万円、その他開発費(人件費含む)が同16百万円減の331百万円となった。その他一般管理費は特許関連のコスト増加を主因として同62百万円増の364百万円となった。営業外収支は前期比43百万円改善した。前期に計上した株式上場関連費用28百万円や株式交付費用8百万円がなくなったほか、AMEDからの助成金収入が同5百万円増加したことによる。また、期初会社計画比でみると損失額が縮小したが、主にはrogocekibを中心とした研究開発費用が計画を下回ったことによる。

2026年8月期はrogocekibの開発費用増加により、損失が若干拡大する見通し

2. 2026年8月期の業績見通し

2026年8月期も事業収益の計上予定はなく、営業損失で2,008百万円(前期は1,789百万円の損失)、経常損失で1,958百万円(同1,769百万円の損失)、当期純損失で1,960百万円(同1,785百万円の損失)と損失がやや拡大する見通しだ。

2026年8月期業績見通し

(単位: 百万円)

	25/8期 実績	26/8期 会社計画	前期比 増減額
事業収益	-	-	-
研究開発費	1,425	1,590	164
rogocekib	1,070	1,131	61
CTX-177	0	17	17
CTX-439	27	22	-5
その他(人件費含む)	331	420	89
その他一般管理費	364	418	53
営業利益	-1,789	-2,008	-218
経常利益	-1,769	-1,958	-188
特別損益	-13	-	-
当期純利益	-1,785	-1,960	-174

出所: 決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

研究開発費は前期比164百万円増の1,590百万円を計画している。内訳は、rogocekibが米国での臨床試験被験者数の増加により同61百万円増の1,131百万円となるほか、CTX-177で導出活動再開により17百万円を計上する。また、その他開発費も同89百万円増の420百万円を見込んでいる。一方、CTX-439はAMEDからの助成金を受けた活動のみを想定し同5百万円減の22百万円を計画している。その他一般管理費は、登録/免許関連や保険費用等を中心に同53百万円増の418百万円となる見通しだ。なお2027年8月期の研究開発費の水準については、rogocekibの臨床試験が加速することで1.5~2倍程度に増加する可能性があるとは弊社では見ている。

Chordia Therapeutics

190A 東証グロース市場

2025年11月20日 (木)

<https://www.chorditherapeutics.com/ja/ir.html>

業績動向

rogocekibの開発資金調達を目的に、 第三者割当による新株予約権を発行

3. 財務状況

2025年8月期末の財務状況を見ると、資産合計は前期末比1,951百万円減少の2,681百万円となった。主に研究開発費の支出により現金及び預金と同1,780百万円減少したほか、前払金や前払費用も減少した。

負債合計は前期末比226百万円減少の244百万円となった。主に未払金が262百万円減少したことによる。また、純資産合計は同1,724百万円減少の2,437百万円となった。当期純損失の計上により利益剰余金が1,785百万円減少した。

2025年8月期末の現金及び預金が2,548百万円と当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から、同社は2025年9月に第三者割当てによる新株予約権(第9～11回、1,720万株相当、希薄化率約25%)を発行した。このうち、第9回(1,032万株相当)に関しては行使価額修正条項が付されており、下限行使価額として105円(当初行使価額175円)が設定されている。一方、第10回(344万株相当)は175円、第11回は210円でそれぞれ行使価額が固定されたものとなっている。すべて行使された場合、調達資金額は24.1～34.4億円(下限行使価額～当初行使価額)となる。資金使途としては、2027年8月期までに実施されるrogocekibの拡大コホート及び薬物相互作用の検討にかかる試験費用に充当する予定となっている。なお、rogocekibについては2028年8月期も臨床試験が続くため、それまでに再度、エクイティファイナンスを実施する可能性もあるが、米国でのライセンス契約交渉次第となる。

貸借対照表

(単位：百万円)

	22/8期末	23/8期末	24/8期末	25/8期末	増減
流動資産	4,482	4,891	4,605	2,669	-1,936
(現金及び預金)	4,254	4,799	4,329	2,548	-1,780
固定資産	16	17	26	12	-14
資産合計	4,498	4,909	4,632	2,681	-1,951
負債合計	221	408	471	244	-226
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	4,277	4,500	4,161	2,437	-1,724
(安全性)					
自己資本比率	94.5%	91.2%	89.8%	90.8%	1.0pp
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信、新株式発行並びに株式売出届出目論見書よりフィスコ作成

rogocekibの価値最大化に向けリソースを集中投下し、早期収益化を目指す

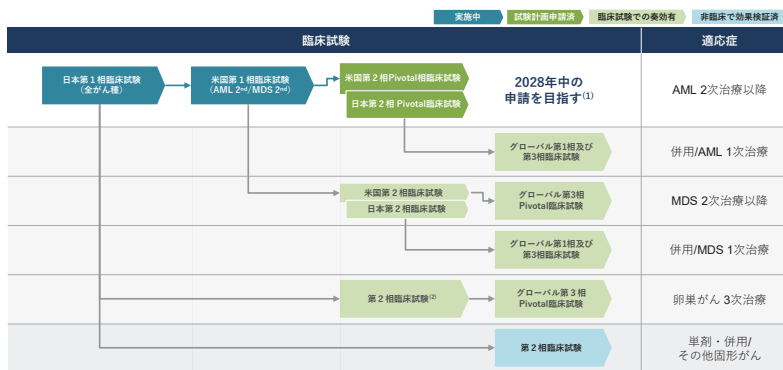
4. 今後の事業方針

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り自社による製造販売を展開し、海外市場ではグローバル製薬企業とライセンス契約を締結することで効率的に事業を拡大していく戦略だ。

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、まずは再発・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の一次治療やその他のがん種への適応拡大を進めることでrogocekibの製品価値最大化を目指す。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、2026年中頃に発表が見込まれる第1相パートの中間成績結果の内容が注目される。良好な結果が得られれば、海外でのライセンス契約締結の可能性が一気に高まると弊社では見ている。その後の第2相パートの組み入れが順調に進み、主要評価項目となっているCR率で既承認薬と遜色ない結果※が得られれば、2028年後半に承認申請を目指すものと予想される。

※ AML治療薬として米国で2024年に販売承認されたSyndax PharmaceuticalsのRevumenibはPivotal P2試験でCR率18%だった。このため、CR率が20%前後の水準であれば承認される可能性が高いと弊社では見ている（日本で実施されたP1試験ではCR率29%だった）。

開発戦略



(1) 上記の情報は将来見通しに関する記載が含まれており、それらは様々な前提条件に基づき、将来に発生する可能性がある情報に過ぎないものと見做す。そのため、臨床試験の進捗、時期または結果について、当社は承認または承認を行うことはできない。また、行わない。一部の結果は上記の将来見通しに関する記載から（断片的には非常に大きく）異なる可能性がある。

(2) 当該試験は日本でのPivotal臨床試験となる可能性があるものと当社では見込んでいる。

出所：同社提供資料より掲載

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。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、配布等することは強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