

# 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 >>>](#)

2026年3月13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. iPS創薬事業の開発状況	01
2. 再生医療事業の開発状況	01
3. 業績動向	01
■ 会社概要	02
1. 会社沿革	02
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	09
■ 業績動向	13
1. 2025年12月期の業績実績	13
2. 2026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細胞由来の再生医療製品で脊髄損傷治療の企業治験準備が進む

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「KP2011」について、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創薬事業の開発状況

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、既存治療薬ライブラリのなかから薬効の高い候補化合物を効率的に特定し、異なる疾患の治療薬として開発を進めるドラッグリポジショニング（既存薬再開発）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ALS治療薬は、2025年12月に導出先のアルフレッサ ファーマが患者のQOL向上等を考慮して実施した新製剤（顆粒剤）での薬物動態及び安全性試験が終了した。今後、第3相臨床試験の準備を進めていくものと見られ、順調に進めば2029年ごろの上市が見込まれる。2026年1月にはFDA（米国食品医薬品局）からpre-IND※ミーティングのリクエストに対する回答を受領した。

※ pre-INDとは、治験計画届（IND）を提出する前段階で行われるFDAとの相談プロセスを指す。治験の実施に必要な情報や計画について確認を行い、FDA側からフィードバックを受け取ることができる。

#### 2. 再生医療事業の開発状況

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に取り組んでいる。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、医師主導臨床研究での良好な結果を受け、2027年にも条件・期限付き承認制度を活用した治験開始を目指す。治療用細胞の製造については（株）ニコン・セル・イノベーションと製造委託契約の基本合意書を2026年2月に締結したほか、アルフレッサ（株）と国内における卸売販売及び輸送・配送に関する独占ライセンス契約を2025年11月に締結するなど上市を見据えた体制整備も着々と進めている。

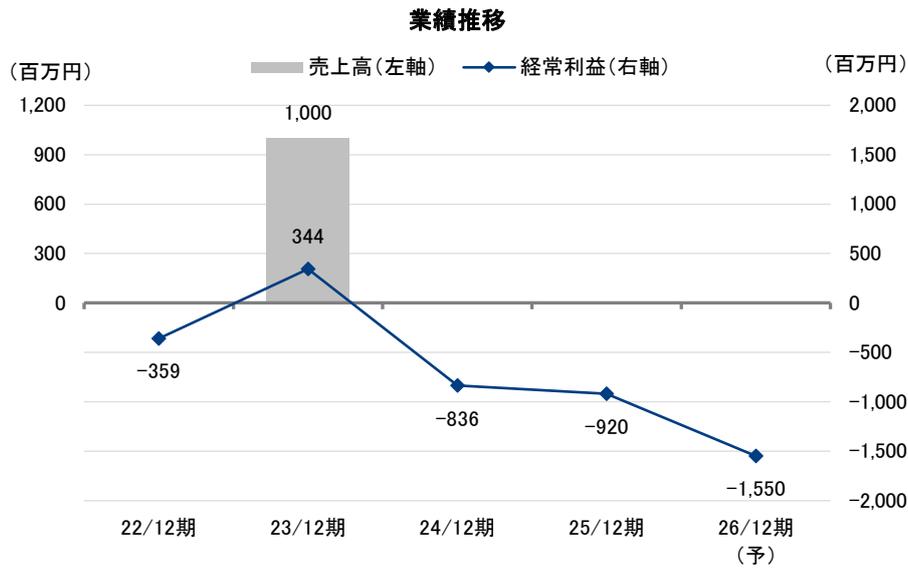
#### 3. 業績動向

2025年12月期の業績は売上高の計上がなく、営業損失で916百万円（前期は836百万円の損失）となった。主に人件費が増加し、研究開発費は前期とほぼ同水準の414百万円となった。2026年12月期の業績も売上高の計上は見込まず、営業損失は1,520百万円を計画している。売上高は海外でのALS治療薬候補品などライセンス契約が決まる可能性もあるが、保守的に0円として開示している。

要約

Key Points

- ・ ALS治療薬は海外でのライセンス活動に向け、FDAより前向きな情報を取得
- ・ 2027年に亜急性性期脊髄損傷を対象とした企業治験開始を目指す
- ・ 2026年12月期は研究開発費の増加により損失額が拡大する見通し
- ・ 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



出所：決算短信、有価証券届出書よりフィスコ作成

## ■ 会社概要

### iPS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

#### 1. 会社沿革

同社は、エーザイ<4523>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(おかのひでゆき)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(なかむらまさや)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。

**ケイファーマ** | 2026年3月13日 (金)  
 4896 東証グロース市場 | <https://www.kpharma.co.jp/ir>

### 会社概要

研究開発テーマとしては、岡野氏と中村氏が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、比較的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、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。直近では2025年11月にアルフレッサと亜急性期脊髄損傷治療に用いられる再生医療等製品に係る治験製品及び市販品の供給体制の構築に関する共同研究開発と、国内における独占的卸売販売権及び治験製品の独占的な輸送・配送に関するライセンス契約を締結した。また、同年12月にはアルフレッサを割当先とする転換社債型新株予約権付社債の発行により15億円を調達し、財務基盤の強化を図った。2025年12月末時点の従業員数は20名(前年末比3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	医薬品及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(ALS)治療剤及び治療用組成物等の特許実施許諾契約を締結
2018年 4月	武田薬品工業(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)を開所
2020年 4月	慶應義塾とiPS細胞を活用した医薬品及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科学研究棟に「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
2023年10月	東京証券取引所グロース市場に株式を上場
2025年11月	アルフレッサ(株)と亜急性期脊髄損傷を対象とした再生医療等製品に関する日本での卸売販売及び輸送・配送に関する独占的ライセンス契約を締結

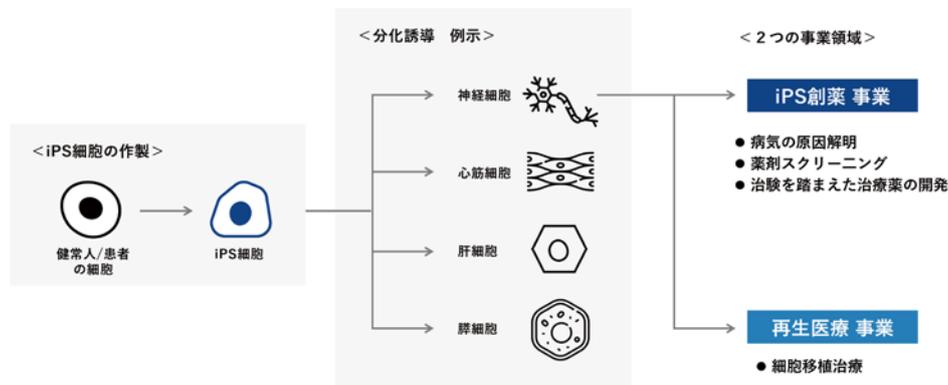
出所：有価証券報告書、同社リリースよりフィスコ作成

## 医薬品、再生医療等製品を開発し、製薬企業への導出を目指す

### 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、開発パイプラインの基礎研究・探索研究から企業治験を行い、製薬企業と将来の製造・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し、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契約パートナーから受領することを基本としている。

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<sup>※</sup>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で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。

会社概要

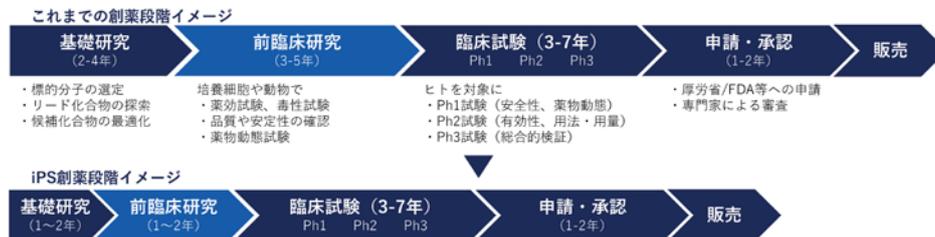
(1) iPS創薬事業

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といったメリットがある。

※ 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。

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り、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、既存薬を使った開発となるため、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



出所：決算説明資料より掲載

(2) 再生医療事業

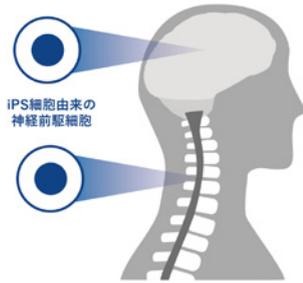
再生医療事業では、脊髄損傷などの神経損傷疾患に対し、他家由来のiPS細胞から分化誘導した神経前駆細胞を移植することで、損傷部位の治療を目指す再生医療の研究開発を行っている。自家由来のiPS細胞ではなく、他家由来iPS細胞で開発を進めているのは、汎用性や市場性が高いと判断したためだ。再生医療等製品は、一定数の症例から安全性の確認と有効性が推定される治験結果が得られた場合は、条件・期限付きで承認され、上市後に一定の症例数をもって有効性の検証が行われる(原則7年間)早期承認制度がある。2026年3月に、住友ファーマ<4506>やクオリップス<4894>が開発を進めていたiPS細胞由来の再生医療等製品※が厚生労働省の専門家部会において条件・期限付き承認の了承を得られており、同社も同制度を活用して上市を目指す方針だ。

※ 住友ファーマはパーキンソン病、クオリップスは重症心不全を対象とした再生医療等製品を開発した。

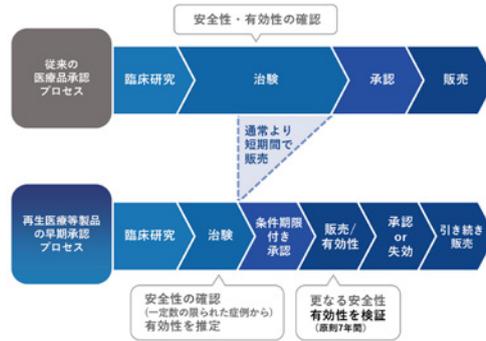
会社概要

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) 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治療薬は海外でのライセンス活動に向け、前向きな情報がFDAから得られる

#### 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、それぞれ着実に開発が進んでいる。このうち最も先行しているものがALS治療薬 (KP2011) となる。国内ではライセンス先のアルフレッサファーマが新製剤 (顆粒剤) での薬物動態及び安全性試験を終え、第3相臨床試験の準備に入っている。海外では製薬企業数社とライセンス交渉を継続するなかで、2026年1月にFDAからpre-INDミーティングのリクエストに対する回答を受領し、今後米国で進める後期臨床試験計画及び承認申請に向け、極めて有益な示唆が得られたことを発表した。そのほかのパイプラインでは、FTD (前頭側頭型認知症) 治療薬 (KP2021) が国内、HD (ハンチントン病) 治療薬 (KP2032) が海外でそれぞれ第1/2相臨床試験の準備を進めている。このうちFTD治療薬は2026年内の治験計画届提出を、2027年春の治験開始を目標としている。そのほか、2025年11月に新規神経変性疾患治療薬の作用機序解析に関して東京慈恵会医科大学と共同研究契約を締結するなど、新規パイプラインの創出にも取り組んでいる。

開発パイプラインの動向

**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 (提携先)	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、 Ph3治験準備中	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)	Ph1/2治験準備中	自社	未定	日本 1.2万人/300億円
KP2032	HD (ハンチントン病)	Ph1/2治験準備中	自社	未定	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	未定	-
KP2051	NHD (那須ハコラ病)	基礎/探索研究段階	自社	未定	-
KP2061	難聴	前臨床研究中	北里大学	未定	日本 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)**

「KP2011」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。

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困難となり、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治験で確認されれば、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受けられるほか、PMDAから優先的に承認審査を受けることができ、上市までの期間を短くすることができる。

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）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1年間の全投与期間において総合機能評価や日常活動量の低下を抑制し、統計的な有効性が示唆された。また、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、既存のALS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、ロピニロールが既存治療薬に対して有意な改善を示したことが報告されている。

**ケイファーマ** | 2026年3月13日 (金)  
 4896 東証グロース市場 | <https://www.kpharma.co.jp/ir>

開発パイプラインの動向

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た。アルフレッサ ファーマでは患者の利便性やQOLの向上等を目的\*として、第1/2a相臨床試験で使用した錠剤タイプではなく顆粒剤タイプの新製剤を開発し、健常人に対する薬物動態及び安全性を確認する臨床試験を実施した。2025年12月に同試験の募集を完了しており、安全性等に問題がないことが確認できれば第3相臨床試験に進む見通しだ。今後のスケジュールについてはアルフレッサ ファーマの戦略次第で同社は関与できないが、2026年末までには治験計画届が提出されると見込んでいる。ALS治療薬の第3相臨床試験の症例数については、過去に実施した第3相臨床試験が200症例前後の規模であったことから同程度の規模になる可能性が高く、治験期間としては2~2.5年が想定される。オーファンドラッグ指定となれば迅速承認審査を受けることが可能となり、順調に進めば2029年ごろの上市が期待される。

\* そのほかにも、新製剤とすることで製剤特許取得による差別化、新薬としての薬価収載の可能性など、製品価値の最大化を図るといふビジネス戦略上のねらいもある。

海外では、複数の製薬企業とライセンス交渉を継続しているが、従来よりも契約締結の可能性が高まったと弊社では見ている。FDAからpre-INDミーティングのリクエスト回答を受領し、後期臨床試験計画及び承認申請に向け、極めて有益な示唆が得られたためだ。これは、日本で実施した第1/2a相臨床試験データを援用することで、米国では同プロセスをスキップし、後期臨床試験の実施のみで承認申請が可能になったことを示唆していると思われる。また、そのほかの回答内容についてもマイナスの評価はなかったとしている。これらはライセンス交渉を行っている候補企業にとっても有益な情報であることは間違いなく、2026年内の契約締結が期待される。

### (2) FTD治療薬 (KP2021)

FTD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発表し、そのなかから最有力の化合物の選定が完了し、国内で用途特許も申請済みだ。現在は国内で第1/2相臨床試験を行うべく、PMDAやFTDの専門医師、CRO (開発業務受託機関) などと協議して治験計画を策定している段階で、2026年内の治験計画届提出、2027年春の治験開始を目指している。患者数が少ないことから症例数は数十名規模となることが予想される。海外での開発戦略としては、希少疾患であることから単独で開発を進めることも可能だが、ライセンス契約と両睨みで検討を進めることにしている。

### (3) HD治療薬 (KP2032)

HDは遺伝性の神経変性疾患の一種で、特定の遺伝子の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。

開発パイプラインの動向

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、そのなかから最有力の化合物の選定が完了し、用途特許も申請済みだ。開発は患者数が比較的多い北米で進める可能性が高く、第1/2相臨床試験の開始に向けて、HDの専門医師と協議を行っており、FDAとも治験計画に関する事前ミーティングを行う予定にしている。具体的には、プロトコルの策定pre-INDミーティングを行う予定で、北米で臨床試験を行う場合は2027年以降となる見通しだ。また、ライセンス契約交渉も並行して進めていくことにしている。

**(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ことが一般的だが、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、用法特許も取得している。ただ、難聴を適応症として開発を進める場合は、大規模な臨床試験を行う必要がある。このため、同社単独で行うことは現実的ではなく早期導出を行うか、難聴のなかでも特定の疾患に絞って開発を進めるか、専門医師の意見も聞きながら方針を固めていく考えだ。

## 2027年に亜急性期脊髄損傷を対象とした企業治験開始を目指す

### 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ものが亜急性期の脊髄損傷を対象としたiPS細胞由来の神経前駆細胞「KP8011」を用いた治療法で、2026年内に治験計画届を提出し、2027年より第1/2相臨床試験の開始を目指している。

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 (提携先)	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企業治験に向け準備中	慶應義塾大学	未定	日本 年間 5,000人/750億円
KP8021	慢性期脊髄損傷	基礎/探索研究段階	自社	未定	日本 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	未定	日本 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	未定	日本 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	未定	日本 5.68万人/8,250億円

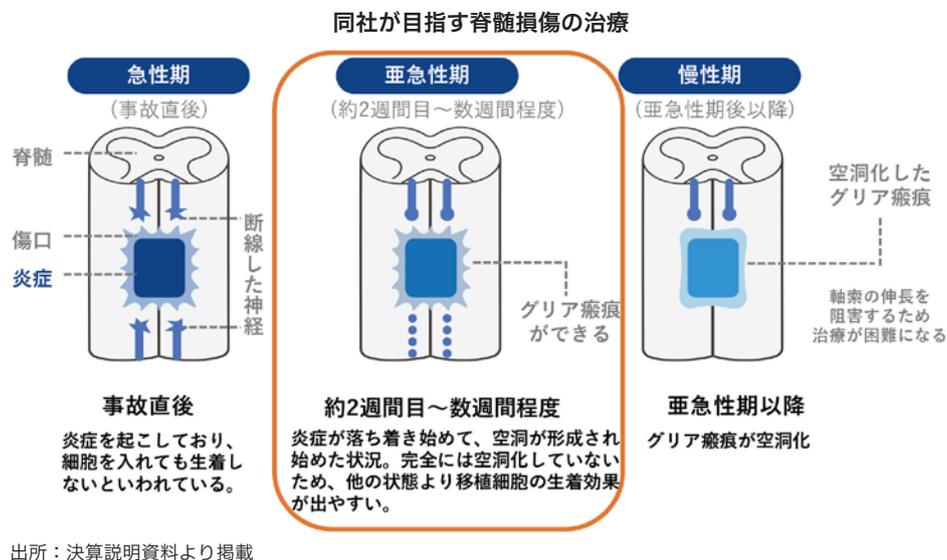
出所：決算説明資料よりフィスコ作成

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、四肢機能を回復させ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治療が可能

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となるのが一般的だが、「KP8011」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く、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ことで、(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

慶應義塾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。

慶應義塾大学が2020年12月から実施した4例の臨床研究(移植後1年間の観察期間を設定)では、4症例すべてで安全性が確認されたほか、有効性についても2例で運動機能の改善が認められた。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)したことが認められたとしている。(独)労働者健康安全機構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。

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)を進めている。2025年11月には医薬品卸大手のアルフレッサと業務提携を発表し、亜急性期脊髄損傷の治療に使用される再生医療等製品に係る治験製品及び市販品の供給体制構築に関する共同研究開発を行うこと、また市販品の国内における独占的卸売販売権及び治験製品の国内における独占的輸送・配送に関する契約を締結した。また、2026年2月には再生医療用・遺伝子治療用細胞の受託製造大手であるニコン・セル・イノベーションと「KP8011」の治験製品の製造委託に関する基本合意書を締結したことを発表し、流通及び製造におけるサプライチェーンを構築した。今後はPMDAと事前相談を行う予定で、2026年内に治験計画届を提出し、2027年の治験開始を目指す。

医師主導臨床研究では、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、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。治験プロトコルはほぼ同様なものになると思われ、症例数については7~8例程度となりそうだ。医師主導臨床研究の結果を再現できれば、条件・期限付き承認制度を活用して早期承認を目指す。順調に進めば2030年初頭の上市が予想される。なお、医師主導臨床研究において運動機能の改善で症例によって差が出た要因についてはある程度把握しているようで、治験計画に反映させることによって成功確率を高めていく考えだ。

国内の患者数は年間5,000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いる。国内は単独で開発を進めているが、海外についてはコストが高いため大手製薬企業とライセンス契約を締結し、共同で進めていく考えで、既に数社から声が掛かっている。

※ 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。

開発パイプラインの動向

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。

(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年代後半の企業治験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、慢性期外傷性脳損傷

慢性期脳出血及び慢性期外傷性脳損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

### 2025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. 2025年12月期の業績実績

2025年12月期の業績は売上高の計上がなく、営業損失で916百万円（前期は836百万円の損失）、経常損失で920百万円（同836百万円の損失）、当期純損失で993百万円（同846百万円の損失）となった。研究開発費は同37百万円減の414百万円となったが、人員増に伴う人件費の増加により損失額は若干拡大した。一方、会社計画比では研究開発費の期ズレや費用の抑制に取り組んだことにより、損失額が縮小した。なお、期末従業員数は20名で前期末比3名増となった（うち、研究開発人員は11名）。

#### 2025年12月期業績実績

(単位：百万円)

	24/12期 実績	25/12期		前期比 増減額	計画比 増減額
		会社計画	実績		
売上高	-	-	-	-	-
売上総利益	-	-	-	-	-
販管費	836	1,123	916	79	-206
（研究開発費）	451	-	414	-37	-
営業利益	-836	-1,123	-916	-79	206
経常利益	-836	-1,122	-920	-84	201
特別損益	-7	-	-69	-62	-
当期純利益	-846	-1,136	-993	-146	142

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

### 2026年12月期は研究開発費の増加により損失額が拡大する見通し

#### 2. 2026年12月期の業績見通し

2026年12月期の業績は売上高の計上がなく、営業損失で1,520百万円、経常損失で1,550百万円、当期純損失で1,616百万円と損失額が拡大する計画となっている。主には企業治験の準備に伴う研究開発費の増加、並びに人員増に伴う人件費の増加を見込んでいる。売上高はALSや脊髄損傷など各開発パイプラインで、国内外の製薬企業とのライセンス契約締結に向け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。ライセンス契約が決まれば契約一時金を計上することになる。また、研究開発費についても保守的に計画に織り込んでいる。

業績動向

人員については、研究開発及び管理部門で数名程度の増員を計画している。営業外収支で若干の悪化を見込んでいるが、2025年12月に第三者割当による転換社債型新株予約権付社債を1,500百万円発行（利率2%）したことに伴い、支払利息を計上することが要因だ。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。また、AI/ロボットなどの先端技術の活用についての検討や、広報・IR活動も引き続き積極的に取り組んでいく。ロボットについては、再生医療等製品の治療で合わせて利用するリハビリテーション用器具としての可能性を検討する。

**2026年12月期業績見通し**

(単位：百万円)

	25/12期 実績	26/12期 会社計画	前期比 増減額
売上高	-	-	-
販管費	916	1,520	604
営業利益	-916	-1,520	-604
経常利益	-920	-1,550	-629
当期純利益	-993	-1,616	-623

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

## 第三者割当による転換社債型新株予約権付社債を発行、1,500百万円を調達

### 3. 財務状況

2025年12月期末の資産合計は前期末比586百万円増加の2,939百万円となった。第三者割当による転換社債型新株予約権付社債1,500百万円を発行したことにより、現金及び預金が523百万円増加したほか、敷金及び保証金が43百万円増加した。負債合計は転換社債型新株予約権の発行に伴い、同1,579百万円増加の1,673百万円となった。また、純資産合計は当期純損失の計上により、同992百万円減の1,265百万円となった。

当面は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の計上がなければ損失が続く可能性が高い。同社は、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り、手元キャッシュの状況を見ながら資金調達を行い、研究開発資金等に充当していくものと予想される。なお、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。

業績動向

貸借対照表

(単位：百万円)

	22/12期末	23/12期末	24/12期末	25/12期末	増減
流動資産	1,370	3,308	2,348	2,890	542
(現金及び預金)	1,336	3,266	2,268	2,791	523
固定資産	3	4	4	48	43
資産合計	1,374	3,313	2,353	2,939	586
負債合計	38	209	94	1,673	1,579
(有利子負債)	-	-	-	1,500	1,500
純資産合計	1,336	3,104	2,258	1,265	-992
(安全性)					
自己資本比率	97.2%	93.7%	96.0%	43.1%	-52.9pp
有利子負債比率	-	-	-	66.7%	66.7pp

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とることで希少疾患の創薬開発に取り組んでいく。また、国内から海外へと事業展開していくほか、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も活用しながら、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。

iPS創薬事業の成長戦略

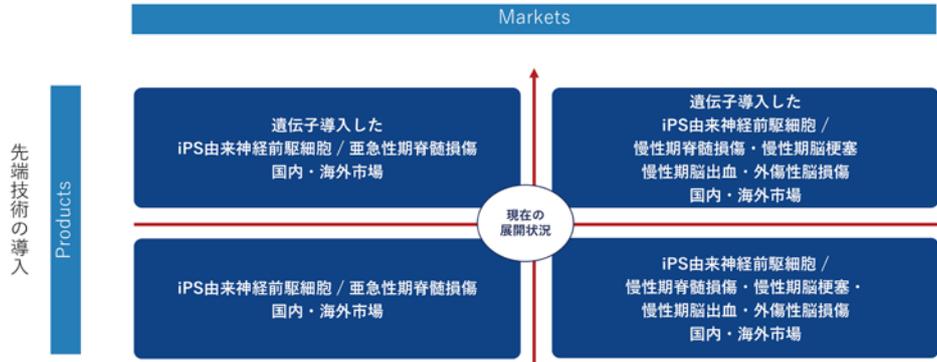


出所：決算説明資料より掲載

今後の成長戦略

再生医療事業の成長戦略

対象疾患の拡大



出所：決算説明資料より掲載

#### 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、理由のいかなを問わず、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