

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

レクメド

2026年8月6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. NaPPSの開発状況	01
2. 業績動向	01
3. 今後の開発戦略	02
■ 会社概要	03
1. 会社沿革	03
2. 事業内容	05
■ 開発パイプラインの動向	08
1. NaPPSの開発状況	08
2. その他パイプラインの開発状況	11
■ 業績動向	12
1. 2026年3月期の業績概要	12
2. 財務状況	13
3. 2027年3月期の業績見通し	14

要約

2品目の開発・上市実績を持つ医薬品開発・販売会社

(株)レクメドは、1998年に協和醸酵工業(株)(現 協和キリン<4151>)の社内ベンチャー制度を活用して設立された医薬品開発・販売会社である。1999年に独立会社となり、これまでに2品目の開発・上市実績を持つ。現在は変形性膝関節症を適応症としたポリ硫酸ペントサンナトリウム(以下、NaPPS)の国内での第III相臨床試験を進めているほか、医薬品販売事業では、先天性胆汁酸代謝異常症※の治療薬「オフアコルカプセル50mg(一般名: コール酸)」を販売している。

※ 先天性胆汁酸代謝異常症は、肝臓内でのコレステロールから胆汁酸の生合成経路に関与する酵素のうちいずれか1つの遺伝性欠損を病因とするもので、中間代謝物である胆汁酸前駆物質の肝細胞内蓄積により肝機能障害を生じる疾患。進行性で、未治療の場合は肝硬変や肝不全により死亡に至るリスクもある。小児慢性特定疾病の対象疾病に指定されており、患者数が極めて少ない遺伝性希少疾患となる。

1. NaPPSの開発状況

2024年12月より、変形性膝関節症を適応症としたNaPPSの国内第III相臨床試験を実施している。予定症例数は160症例で、プラセボ群との二重盲検比較試験となる。週1回のペースで8回投与(皮下注射)し、投与前と投与8週時における痛みスコアの変化量を主要評価項目とする。被験者の本登録の進捗率は2026年6月末時点で5割を超えており、順調に進めば2027年3月までに被験者の本登録を完了し、治療及び観察期間を含めて2027年8月頃に試験を完了、結果が良好であれば2028年3月までに承認販売申請を行う予定だ。変形性膝関節症の患者数は高齢化社会の進展に伴い増加傾向にある。現在は、消炎鎮痛剤やヒアルロン酸製剤が一般的に利用されており、重症患者には人工関節への置換術なども実施されている。同社は軽度・中等度の患者を対象としており、患者数で約800万人になると推計している。このうちヒアルロン酸製剤を利用している患者数が約250万人と見られ、その20%に当たる50万人を対象患者のボトムラインとして事業計画を立てている。売上高としては数百億円規模※が期待できることになる。ヒアルロン酸製剤等と比較して薬価が高くなるため、コストに見合うだけの薬効が得られるかどうかガシエ獲得のカギを握る。

※ 類似薬がないため、原価計算方式で薬価を算出すると1クール(8回投与)で薬剤費は約8万円になると試算している。

2. 業績動向

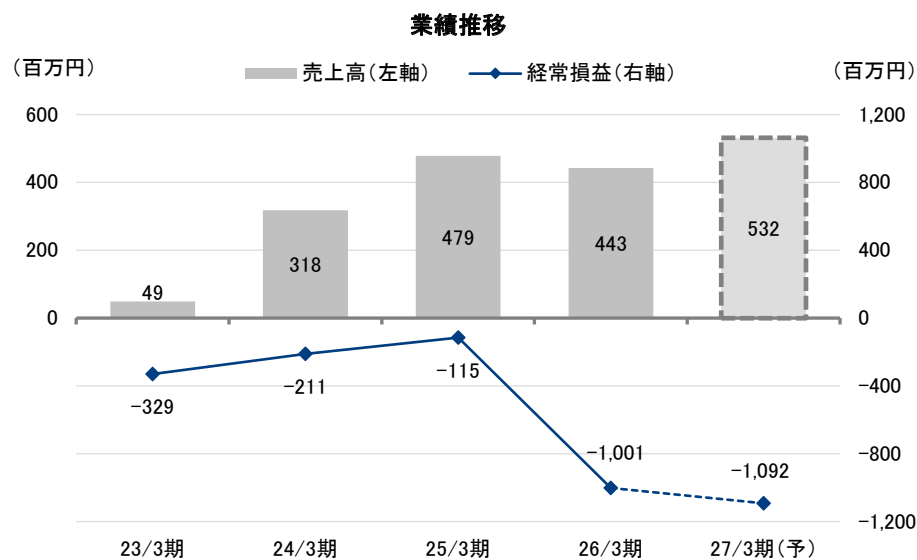
2026年3月期の業績は、売上高で前期比7.6%減の443百万円、営業損失で785百万円(前期は112百万円の損失)となった。医薬品販売事業の売上高が同187百万円増加した一方で、医薬品開発事業において前期に計上したNaPPS(変形性膝関節症向け)販売に関する提携先からの販売契約マイルストーン収入200百万円がなくなったことが減収要因となった。利益面では、販売契約マイルストーン収入がなくなったことに加えて、第III相臨床試験の開始に伴い、研究開発費が前期の285百万円から778百万円に増加し、損失拡大につながった。2027年3月期業績は、売上高で同20.1%増の532百万円、営業損失で1,067百万円を見込む。医薬品販売事業における投与患者数の増加が主な増収要因となり、利益面ではNaPPSの臨床試験費用を中心とした研究開発費の増加により、営業損失が拡大する見通しである。2026年3月期末の手元キャッシュは1,480百万円となっており、エクイティファイナンスにより事業資金を調達していくものと見られる。

3. 今後の開発戦略

今後の開発戦略として、まずは国内での変形性膝関節症を適応症としたNaPPSの販売承認を取得し、その後はNaPPSの適応拡大を目指す方針である。希少遺伝性疾患であるムコ多糖症のほか、HTLV-1関連脊髄症などの希少疾患のほか、変形性の手関節症や股関節症の開発も視野に入れている。もう1つの開発品となるパーキンソン病を適応症としたエルトラジンについても海外で第IIa相臨床試験を終了しており、今後国内のパーキンソン病に関するKOL (Key Opinion Leader) と開発戦略について協議を進める。

Key Points

- ・ 変形性膝関節症を適応症としたNaPPSは2028年3月期中の承認申請を目指す
- ・ 2026年3月期は研究開発費の増加で損失額が拡大
- ・ 2027年3月期もNaPPSの国内第III相臨床試験に傾注



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

会社概要

協和醗酵の社内ベンチャー制度を活用して起業したバイオベンチャー

1. 会社沿革

同社は、現代表取締役社長である松本 正（まつもと ただし）氏が、1998年当時在籍していた協和醗酵工業（現協和キリン）の社内ベンチャー制度を活用して設立した医薬品開発・販売会社である。出資比率は協和醗酵工業が51%、松本氏が49%であったが、その後、バイオベンチャーへの投資ファンド運営事業※を開始する際に、協和醗酵工業と協議した結果、松本氏が退職金を使って協和醗酵工業の持株をすべて買取り、独立した格好となっている。

※ 投資ファンド運営事業は2013年に終了。

投資先となるバイオベンチャーや創業のタネを探索すべく、国内外のバイオカンファレンスに参加するなかで、2003年に米国のバイオテック企業であるPsychoGenics, Inc.（現 PGI Drug Discovery LLC）と「エルトブラジン」に関する共同開発契約を締結し、医薬品開発事業を開始した。また、同時期に長崎大学病院の教授からクロイツフェルト・ヤコブ病※の研究目的に、ドイツのbene pharmaChem GmbH & Co. KG（以下、bene社）が製造するNaPPSの調達を頼まれた際に、変形性膝関節症治療薬としてNaPPSを開発する意義があると推薦されたこともあり、2004年にbene社と日本における共同開発契約を締結した。

※ プリオン病の一種で、全身の不随意運動と急速に進行する認知症を主徴とする中枢神経の変性疾患。根治療法は現在のところ存在せず、発症後の平均余命は約1.2年。

2007年に第I相臨床試験を開始し、2008年には旭化成ファーマ（株）（現 旭化成セラピューティクス（株））に対して、bene社と共同で国内における開発・販売ライセンス契約を締結した。その後、旭化成で変形性膝関節症を適応症とした第IIa相臨床試験を実施したが、主要評価項目を達成できなかったことから、2012年にライセンス契約を解除し自社で開発を進めていく方針を決定した。その後、同社において第IIb相臨床試験を投与量や投与方法、投与期間などを変えて実施したところ有効性が確認される投与量と投与期間を見出し、2024年に帝國製薬と販売ライセンス契約を締結し、2024年12月より第III相臨床試験に進んでいる。

2010年前後に国内でドラッグ・ラグ（海外で承認された医薬品が国内で開発が進まず、承認までに時間を要していること）が問題となるなかで、厚生労働省が始めた未承認薬開発支援事業に同社も応募し、医薬品の開発を進めていくことにした。候補品目の中からホモシスチン尿症※を適応症としたペタインの開発申請を行い採択された。国からの補助金を開発費に充当し、2012年より第III相臨床試験を開始、製造販売承認を経て2014年に販売を開始した。同社はこれを機に、開発戦略についてライセンスアウトモデルから自社開発モデルにシフトした。ペタインはその後、ライセンス供与先の会社が日本に現地法人を開設し、ライセンス契約期間の満了を機に2022年に販売権を譲渡している。

※ 先天性アミノ酸代謝異常症の一種であり、メチオニンの代謝産物であるホモシスチンが血中に蓄積することにより発症する希少遺伝性疾患。神経障害や血栓症による症状が出現し、病型により骨格異常・眼症状・血液異常が加わる。難病指定されている。

レクメド | 2026年8月6日 (木)
<https://www.reqmed.co.jp/>

会社概要

同様に、未承認開発支援事業に応募して開発を進めたコール酸（適応症：先天性胆汁酸代謝異常症※）の販売承認を取得し、2023年6月より販売を開始している（商品名：オフアコルカプセル50mg）。

※ 肝臓内でのコレステロールから胆汁酸までの生合成経路に関与する酵素のうち、いずれか1つの遺伝性欠損を病因とするもの。中間代謝物である胆汁酸前駆物質（異常胆汁酸もしくは胆汁アルコール）の肝細胞内蓄積により肝機能障害を生じる希少性疾患で、小児慢性特定疾病に指定されている。

沿革

年月	主な沿革
1998年 5月	協和醸酵工業（株）（現 協和キリン（株））の社内ベンチャー制度第1号として設立
1999年 6月	協和醸酵工業の全持分（51%）を代表取締役の松本氏が買い取り、完全独立会社となる
2000年 2月	ライフサイエンス投資事業組合をエムビーエルベンチャーキャピタル（株）（現 ライフサイエンスベンチャーキャピタル（株））と共同で設立し、投資ファンド運営事業を開始
2003年 8月	PsychoGenics, Inc.（現 PGI Drug Discovery LLC）とエルトブラジンの共同開発契約を締結し、医薬品開発事業を開始
2004年 5月	bene pharmaChem GmbH & Co. KGとポリ硫酸ペンタナトリウム（以下、NaPPS）の共同開発契約を締結
2005年 9月	NaPPSの臨床研究（適応症：変形性膝関節症）を長崎大学病院で開始
2007年 1月	NaPPSの国内第I相臨床試験を開始
2008年 6月	旭化成ファーマ（株）（現 旭化成セラピューティクス（株））に対して、bene pharmaChemと共同でNaPPSの国内における開発・販売ライセンス契約を締結
2009年 3月	エルトブラジンの日本人での薬物動態試験を米国にて開始
2010年 4月	旭化成ファーマによるNaPPSの変形性膝関節症に対する国内第IIa相臨床試験を開始
2010年 9月	韓国のChong Kun Dang Pharmaceutical Corp.に対して、bene pharmaChemと共同で韓国国内におけるNaPPSの開発・販売ライセンス契約を締結
2011年 6月	厚生労働省未承認薬開発支援事業の開発支援品目であるベタインの開発企業として採択
2011年 9月	Orphan Europe SARL（現 Recordati Rare Diseases SARL）とベタインの日本における独占の開発・販売ライセンス契約を締結
2012年 3月	ホモシチン尿症を適応症としたベタインの国内第III相臨床試験を開始
2012年 6月	旭化成ファーマが実施していたNaPPSの第IIa相臨床試験が終了。主要評価項目を達成できず開発を断念し、国内ライセンス契約を解除
2013年 4月	第一種医薬品製造販売業許可取得
2014年 5月	ベタイン（商品名：サイスタダン原末）を発売し、医薬品販売事業を開始
2014年10月	NaPPSのHTLV-1関連脊髄症（HAM）を適応症とした前期第II相臨床試験を開始
2015年11月	NaPPSの小児ムコ多糖症を適応症とした第II相臨床試験を開始
2019年10月	厚生労働省未承認薬開発支援事業の開発支援品目であるコール酸の開発企業として採択
2020年 4月	Laboratories CTRS（現 THERAVIA SAS）とコール酸の日本における開発・販売を担う共同開発契約を締結
2020年 5月	コール酸の国内第III相臨床試験を開始
2021年11月	NaPPSの変形性膝関節症に対する後期第II相臨床試験を開始
2022年 1月	ベタインのライセンス契約終了に伴い、販売をRecordati Rare Diseasesの日本法人レコルダティ・レア・ディジーズ・ジャパン（株）に承継
2023年 6月	コール酸（商品名：オフアコルカプセル50mg）を発売
2024年 9月	帝國製薬（株）とのNaPPSに関する販売基本契約を締結
2024年12月	NaPPSの変形性膝関節症に対する第III相臨床試験を開始
2025年10月	PGI Drug DiscoveryとエルトブラジンのData Sharing and License Agreementを締結

出所：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

医薬品開発事業と医薬品販売事業を両輪に展開

2. 事業内容

(1) 同社の特徴

同社は設立以来、“Required Medicine for all who request it”（人々に求められる医薬品）の開発に取り組んでいる。とりわけ、アンメットメディカルニーズ※の強い薬剤シーズを国内外のバイオベンチャーやアカデミアをはじめ、学会や患者会まで広がる幅広いネットワークを通じて見出し、同社が主体となって研究開発戦略を練り、CRO（治験支援機関）等を活用しながら開発を進めていることが特徴となっている。

※ 未だ満たされていない医療ニーズ、未だ有効な治療方法がない医療ニーズのこと。

また、開発化合物の特性を理解し、自社で臨床試験デザインを構築して、第I相から第III相臨床試験、販売承認申請までを行うノウハウと実績を有していることや、医薬品の第一種製造販売事業者としての許認可を取得していることも特徴として挙げられる。こうしたノウハウを基に、これまで2品目を自社開発により上市した実績を持つ。

販売戦略に関しては、患者数の少ない希少疾患領域においては開発から販売まで自社単独で行い、患者数の多い疾患領域では製薬企業と販売ライセンス契約を結び、契約一時金やマイルストーン、販売額に応じたロイヤリティ収入を獲得するビジネスモデルを展開することで、利益の最大化を追求する戦略をとっている。目安としては、患者数で200人未満、医療施設数で100施設未満となる希少疾病を対象とした治療薬については、販売費用も負担にならないため自社販売で展開し、それ以外は販売ライセンス契約を締結して製薬企業を通じて販売していくことになる。

自社販売と販売提携の区分け基準

	自社販売	販売提携
患者数	200人未満	200人以上
施設数	100施設未満	100施設以上

出所：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

(2) 事業別概要

同社は現在、医薬品開発事業と医薬品販売事業、コンサルティング事業の3つの事業を展開している。

a) 医薬品開発事業

医薬品開発事業では、変形性膝関節症適応となるNaPPSの開発を中心に進めているほか、進行期のパーキンソン患者のレボドパ誘発ジスキネジア (LID) ※を適応症としたエルトラジンを開発候補品目としている。

※ 進行期のパーキンソン病患者に治療薬L-dopa (レボドパ) を投与した際に、自分でコントロールできない身体の動きが出てしまう現象。

主力パイプラインのNaPPSはブナの木から抽出された植物由来の半合成物資で、1949年に欧州で抗血栓症治療薬として開発されるなど歴史は古く、1996年には米国で間質性膀胱炎治療薬として、2017年には欧州で膀胱痛症候群治療薬として承認・販売されている。また、動物用医薬品としても犬の骨関節炎治療薬として日本や欧米各国で販売されており、オーストラリアでは犬と馬の関節炎治療薬として販売されている。開発元のbene社が製造方法をノウハウとして社内にとどめるためにあえて特許出願しなかったため、その製法はいまだbene社内で管理されており、品質面で他社と圧倒的な差をつけている。このため、bene社と共同開発契約を締結している同社も、NaPPSの開発に成功すればビジネス面での競争優位性を確保できることになる。

さらに同社では、薬剤の長期安定性を実現するために独自で凍結乾燥製剤技術を開発し、特許を国際出願しており、既に日本とオーストラリア、欧州で特許を取得している (米国は審査中)。同社以外のNaPPSの注射剤は液剤となっており、長期保存の場合、バイアル瓶の内側で注射液とガラス内面が接着し、ガラス膜がはげ落ちるリスクがあるが、凍結乾燥製材ではこうしたリスクがなく、薬剤の保存も室温保存が可能になるといった利点がある。このため、同社が現在、国内で使用している治験薬は、bene社から輸入した原薬を国内の製造医薬事業者で凍結乾燥製材に加工したものとなっている。

NaPPSの作用としては、各種の慢性炎症を抑え、生体機能を正常化する効果が期待されている。変形性関節症では関節組織への複合作用により関節症の痛みの症状を緩和し、ムコ多糖症ではグリコサミノグリカン※による全身の慢性炎症を抑えながら骨・軟骨症状 (特に関節の拘縮) を抑える。また、成人T細胞白血病リンパ腫の原因ウイルス (HTLV-1) によって引き起こされる進行性の脊髄炎 (以下、HAM) では、HAMによる歩行障害や排尿障害等の下肢機能障害を改善する効果が期待されている。

※ 長鎖の通常枝分れが見られない多糖。動物の結合組織を中心にあらゆる組織に普遍的に存在する。狭義のムコ多糖。

日本以外の展開では、2010年9月にbene社と共同で韓国のChong Kun Dang Pharmaceutical Corp. (以下、CKD社) と開発・販売ライセンス契約を締結した。同契約については、bene社との共同開発の一環として、同社が韓国における開発パートナー探しを行ったことで実現している。CKD社はbene社からNaPPS原薬を輸入し、間質性膀胱炎治療薬として販売しており、同社はライセンス契約において、bene社がCKD社から受け取る利益の一部をbene社から受け取る契約とし、医薬品開発事業の売上として計上している (2026年3月期は32百万円)。

b) 医薬品販売事業

医薬品販売事業では2020年にフランスのLaboratories CTRS (現 THERAVIA SAS) と共同開発契約を締結し、2023年6月にコール酸製剤 (商品名：オフアコルカプセル50mg) の販売を開始している。また、先天性胆汁酸代謝異常症治療薬として、オーファンドラッグ指定※を受けている。

※ 難病などの治療で医療上の必要性は高いにもかかわらず、患者数が少ないため治療法が確立されていない病気のための医薬品。薬機法上では、対象患者数が5万人未満の医薬品をオーファンドラッグとして指定している。指定を受けることで開発助成金を得られるほか、規制当局との協議を優先的に進めるなど、開発をスムーズに行える制度を活用できるメリットがある。

先天性胆汁酸代謝異常症は、肝臓においてコレステロールから胆汁の成分であるコール酸やケノデオキシコール酸を生成する酵素に先天的な遺伝子変異で異常が起こり、生合成が途中で止まってしまう疾患で、それにより有害な異常代謝物が肝臓に蓄積し、肝障害を誘発する。障害を受けた酵素の種類により12種類の病型に分かれており、オフアコルカプセル50mgはこのうち3種類の病型 (脳腱黄色腫症 (以下、CTX) ※他2疾患) で治療が行われている。

※ 胆汁酸を作る酵素の働きが悪くなることによりコレステロールから胆汁酸を作ることができず、コレステロールなどの脂質が身体 (脳神経など) に蓄積する結果、アキレス腱が厚くなるほか、知能低下、歩行障害、ふらつきなどが生じる疾患。

作用機序としては、経口剤として服用したオフアコルカプセル50mgに含まれるコール酸が、あたかも胆嚢から十二指腸に分泌されるコール酸と同じようにふるまうことで、小腸での脂肪や脂溶性ビタミンの吸収を助け、十分な量の胆汁酸が体内を循環することで、毒性の強い代謝中間体の生合成が抑えられ、肝障害の回復につながる仕組みとなっている。

現在、国内においてCTX以外の先天性胆汁酸代謝異常症の薬剤は、オフアコルカプセル50mgのみが承認されている。一方、CTXの適応に関しては、藤本製薬 (株) のフジケノン粒状錠125mg (一般名：ケノデオキシコール酸) が販売承認を取得し、2025年11月より販売が開始されている。CTXでは、フジケノン粒状錠125mgが第一選択薬として認められているが、一部患者に対し安全性の面から第一選択薬だけでは十分な量を確保できず、オフアコルカプセル50mgが追加投与されることが期待されるほか、副作用リスクの観点からオフアコルカプセル50mgが処方されるケースもある。

なお、オフアコルカプセル50mgは共同開発先のフランスのTheravia社 (Norgine BV傘下) から最終製品の形で輸入しており、医薬品の卸業を行う (株) サノを通じて販売している。円建て決済のため現状は為替の円安影響はないものの、今後の仕入れ価格交渉で影響が出るリスクはある。

c) コンサルティング事業

長年の国内外のバイオベンチャーとの共同開発や医薬品開発で同社が蓄積したノウハウについて、それを活用したい国内外のバイオベンチャーやアカデミアからの依頼により、業務提携サポートや創薬戦略立案支援という形でサービス提供している。

■ 開発パイプラインの動向

変形性膝関節症を適応症としたNaPPSは 2028年3月期中の承認申請目指す

1. NaPPSの開発状況

(1) 変形性膝関節症

a) 変形性膝関節症の症状、治療法、患者数について

同社は変形性膝関節症を適応症としたNaPPSの開発を経営の最優先事項として取り組んでいる。変形性膝関節症とは、膝の軟骨が老化によって弾力性がなくなり、すり減ることで関節内に炎症を惹き起こし、痛みを発症する疾患で、高齢者になるほど罹患率が高くなる。また、骨折や靱帯及び半月板損傷などの外傷や、化膿性関節炎などの感染の後遺症として発症することもある。初期段階では立ち上がりや歩行動作の開始時に痛みが生じ、中期には正座や階段の昇降が困難となり、末期では安静時でも痛みが取れず、関節が変形して歩行が困難になる。

治療法としては、軽傷の場合は痛み止めの内服薬や消炎鎮痛剤を使用する。また、症状がさらに進んだ場合は、関節内にヒアルロン酸製剤を注射するなどの対処となる。症状が深刻化した場合には、人工膝関節置換術など手術療法を行うケースがあり、最近では再生医療技術なども出始めている。

国内の患者数は40歳以上で有病率が約55%、有症状者が1,800万人に上ると言われており、要介護への移行リスクが健常者に対して約6倍になることが指摘されている。今後高齢者人口が増加し続ける日本において、変形性膝関節症の患者数を減らすことは要介護者数を抑制することにもつながり、効果の高い治療薬を開発する意義は大きい。

NaPPSは今までの薬剤と異なり、変形性膝関節症の原因となっている膝の慢性的な炎症状態を抑え、膝の関節内の軟骨破壊を抑制する「疾患修飾剤」という新しい治療分野の薬剤となる。痛みを軽減する内服薬や消炎鎮痛剤とは異なり即効性はないが、膝関節の状態を改善することで痛みも軽減する薬剤となる。対象となる患者は、軽症から重症まですべての変形性膝関節症患者となるが、現在進めている第III相臨床試験では重症度の判定基準として用いられるKL分類※でグレード2～3（軽度から中等度）の患者を対象に開発を進めており、国内の対象患者数は約800万人程度と同社では推計している。

※ KL (Kellgren and Lawrence) 分類とは、レントゲン写真から関節軟骨の減少具合や骨棘の程度、関節の隙間の大小等によって重症度を4段階に分類したものの。1は変形膝関節症の疑いがあるもの、2は軽度、3は中等度、4は重度の変形性膝関節症の評価となる。

治験薬は凍結乾燥製剤の皮下注射剤（以下、皮下注）となる。皮下に注射することで薬剤は全身に回り、両膝が痛い場合でも1回の注射で効果が出ることを同社では期待している。膝に打つヒアルロン酸注射は整形外科医が行うが、皮下注は内科医のほか看護師、さらに将来的には患者本人が注射することも可能となり、整形外科医が身近になく治療を受けられない患者にも治療機会を確保することが可能となる。現在、皮下注で関節症の治療効果をうたった薬剤はほかになく、開発に成功すれば変形性膝関節症治療においてパラダイムシフトをもたらすものと考えられる。

b) 第III相臨床試験の概要と進捗状況

2024年12月より国内で開始した第III相臨床試験（2025年7月本登録開始）では、予定症例数160例でプラセボ群との二重盲検比較試験を実施している。対象患者は40歳以上75歳未満の変形性膝関節症患者で、KL分類グレード2～3の患者としている。被験者は治験薬の投与開始4週間前に仮登録を行い、2週間に1度来院して痛みがあるかを確認し、プラセボ効果を最小化させようとして、治験薬の投与を開始する。用量は体重1kg当たり2mgのNaPPSまたはプラセボを1週間に1度、8週間連続で投与する。その後4週ごとに3回（計12週間）来院し経過観察を行う。主要評価項目はWOMAC総合指数※のうち痛みの評価項目であるWOMAC-Aを用いて、投与前と投与8週後におけるWOMAC-Aスコアの変化量（改善度合い）をプラセボ群と比較する。

※ 変形性関節症に関連する症状を評価するため、痛みやこわばり、日常行動の困難度に関する24項目の質問票を用意し、被験者が質問票へ点数を付けた結果を指数化したもの。

NaPPSの変形性膝関節症に対する第III相臨床試験デザイン

試験デザイン	プラセボ対象、無作為化、二重盲検、多施設共同、並行群間比較試験
対象患者	40歳以上75歳未満の変形性膝関節症患者で、KL分類グレード2～3の患者
用量	本剤2mg/kgまたはプラセボを週1回、8週間皮下投与
主要評価項目	投与前と投与8週評価時のWOMAC-Aスコア（48時間以内の痛みスコア）の変化量をプラセボ群と比較
症例数	160症例（本剤80例、プラセボ80例）

出所：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

第IIb相臨床試験（症例数：実薬群12例、プラセボ群11例）の結果では、KLグレード2～3の患者で、投与後6週目でWOMAC-Aスコアでプラセボ群と実薬群で改善度合いに差が表れ始め、8週目において統計学的有意差を持って痛みが軽減されたことが確認された。今回の第III相臨床試験でも同様の結果が得られれば、販売承認申請を行うことになる。

なお、旭化成ファーマが実施した第IIa相臨床試験で良好な結果が得られなかった理由として、当該試験では投与量が100mg/回と体重に関係なく一定であったことや、投与回数・期間が4回・4週間と短く、薬効が出る前に評価を終えてしまったこと、被験者の選定でかなり軽症な患者を含めていたことなどが要因であると考えている。痛みの評価スケールであるVASスコアで、第IIa相試験では10段階中2.5～7の患者を対象としていた。2.5はたまたま痛みが出る程度の患者である。今回の第III相試験ではVASスコアで5以上の患者を選定しているため、より痛みの変化を患者が感じやすくなっている。

レクメド | 2026年8月6日 (木)

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

開発パイプラインの動向

2026年6月時点の被験者登録の進捗状況は50%を超えたところまで来ている。同社は治験施設数を当初の25施設から28施設に拡大して登録ペースを加速させ、2027年3月期中に被験者の本登録完了を目指す。予定どおりに進めば2027年8月に臨床試験を完了し、データ解析により良好な結果が得られれば、2028年3月期中の販売承認申請を目指すことになる。審査期間が1年強程度かかることが想定され、承認取得は早くても2029年3月期以降となる。

なお、変形性膝関節症を適応症としたNaPPSの臨床試験については、オーストラリアのParadigm Biopharmaceuticalsが第III相臨床試験を実施中で、2026年9月に中間成績を発表する予定となっている。治験デザインは用量2mg/kgを週2回、6週間投与する二重盲検比較試験となっており、投与2ヶ月後の痛みスコアの変化量を主要評価項目としており、投与量と投与期間は若干異なるものの、ほぼ同様の治験デザインとなっているため、先行指標として注目される。

また、韓国CKD社では、現在、間質性膀胱炎を適応症としてNaPPSの販売を行っているが、変形性膝関節症についても、日本の臨床試験結果を見て、韓国でも開発を進めるか判断するようだ。韓国で上市されれば原薬販売分の利益の一定割合が同社に入ってくることになる。

c) 潜在市場規模

変形性膝関節症の開発に成功した場合、NaPPSの売上規模は薬価ベースで少なくとも数百億円レベルになると試算される。同領域において類似薬がないため、原価計算方式で薬価が決められることになる。同社の試算によると、8回の投与で約8万円を期待している。対象患者数はKL分類のグレード2と3に該当する約800万人となるが、価格の安いヒアルロン酸製剤や消炎鎮痛剤などと競合するため、すべてを代替するのは難しい。ヒアルロン酸製剤を利用している患者数は約250万人と見られ、その20%に当たる50万人をボトムラインとして事業計画を立てている。売上高としては数百億円規模※が期待できることになる。ヒアルロン酸製剤等と比較して薬価が高くなるため、コストに見合うだけの薬効が得られるかどうかシェア獲得のカギを握る。

※ ヒアルロン酸製剤では生化学工業<4548>のアルツディスポ関節注25mgが国内シェア80%と圧倒的シェアを握っている(週1回5週連続投与、その後は月1回投与)。薬価は2026年4月から663円/本となっており、関節腔内注射の診療報酬800円と合わせて片膝1,463円の治療費となる。

なお、上市した場合は販売ライセンス先の帝國製薬を通じて販売することになる。

d) 変形性関節症の適応拡大

変形性膝関節症の開発に成功した場合は、類似疾患である変形性手関節症や股関節症に適応拡大し開発を進めていく戦略だ。両疾患ともに投与量を変形性膝関節症と同じにすることで、用量設定試験をスキップして、第III相臨床試験から始めることが可能と見ている。

変形性手関節症は、主に第1関節や親指の根元の関節に変形性関節症が起きる疾患で、手の痛みだけでなく、手の機能低下による日常生活の質の低下を引き起こす疾患となる。2022年に発表された「科学研究費助成事業の研究成果報告書」において、国内で初めて疫学研究がなされ、重度の患者が年間約70万人のペースで発生し、年間約100万人の患者の症状が悪化していると推定されている。治療法は内服薬や消炎鎮痛剤による痛みの軽減もしくは外科手術となる。ヒアルロン酸製剤については、手関節が小さく局所投与が難しいこともあり、適応外となっている。こうしたなか、NaPPSは皮下注により全身の関節において薬効が期待できると考えられ、膝関節症で開発に成功すれば、変形性手関節症においても同様に開発に成功する可能性は高い。

変形性股関節症は、股関節の軟骨が徐々にすり減り、歩行動作時に痛みを引き起こす疾患で、症状が進行すれば日常生活にも支障をきたし、重症化すると人工関節による置換手術が行われる。変形性股関節症は約120万人の潜在患者数が存在すると推定され、ヒアルロン酸製剤が商品化されてはいるものの、アナフィラキシーなどの副作用リスクがあることから、アンメットメディカルニーズが強い領域となっている。NaPPSは皮下注によって全身の関節に薬効が期待できると考えられることから、変形性膝関節症の開発に成功すれば積極的に開発を進めていくことにしている。

2. その他パイプラインの開発状況

その他のパイプラインとして、ムコ多糖症及びムコリピドーシス(骨・軟骨症状改善)を適応症としたNaPPSの国内第IIb相臨床試験を完了し、現在評価中となっているほか、HTLV-1関連脊髄症を適応症としたNaPPSの国内第IIa相臨床試験も同様に完了し、評価中となっている。ただ、リソースが限られるなかでNaPPSに関しては変形性関節症の開発を優先的に進めていく方針となっている。

一方、エルトラジンについては、開発パートナーである米PGI Drug Discoveryにおいて薬物動態試験を米国在住の日本人で実施したほか、進行期パーキンソン病患者のLIDを適応症とした第IIa相臨床試験を欧州で実施している。今後は国内でのLIDの臨床試験開始に向けて原薬製造受託企業の探索を進めるとともに、パーキンソン病に関するKOLと開発戦略について協議を進めていくことにしている。

業績動向

2026年3月期は研究開発費の増加で損失額が拡大

1. 2026年3月期の業績概要

2026年3月期の業績は、売上高で前期比7.6%減の443百万円、営業損失で785百万円（前期は112百万円の損失）、経常損失で1,001百万円（同115百万円の損失）、当期純損失で1,002百万円（同120百万円の損失）となった。

2026年3月期業績

（単位：百万円）

	25/3期	26/3期	前期比	
			増減額	増減率
売上高	479	443	-36	-7.6%
売上総利益	369	238	-130	-35.4%
販管費	481	1,023	541	112.4%
研究開発費	285	778	492	172.3%
営業損益	-112	-785	-672	-
経常損益	-115	-1,001	-885	-
当期純損益	-120	-1,002	-882	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

売上高の内訳は、医薬品開発事業が32百万円（同219百万円減）、医薬品販売事業が407百万円（前期比187百万円増）、コンサルティング事業が4百万円（同4百万円減）となった。医薬品開発事業は前期に計上した提携先からの販売ライセンス契約マイルストーン200百万円がなくなり、大幅減収となった。また、韓国企業向けNaPPS原薬の収益分配金も51百万円から32百万円に減少した。

医薬品販売事業ではオフアコルカプセル50mgの販売がおおむね計画どおりに伸長した。さらなる認知拡大と潜在患者の掘り起こしのため、胆汁酸代謝異常症の病型の1つであるCTXのエキスパート医師とアドバイザー委受託契約を継続し、医療従事者への啓発活動を継続したことが奏功した。投与患者数は10数名となっているが、CTX患者数は100名程度と見られるため、啓発活動を進めることで10億円以上に拡大できる可能性があると同社では見ている。またコンサルティング事業では、バイオ業界での若手人材育成を目的とした（一財）バイオイノベーション協会主催の教育研修プログラムへの講師派遣に伴う報酬等を売上として計上した。

売上原価はオフアコルカプセル50mgの販売増に伴う仕入原価増により前期比94百万円増の204百万円となった。また、契約マイルストーン収入200百万円がなくなったことで売上総利益は同130百万円減の238百万円となった。販管費は同541百万円増の1,023百万円となった。NaPPSの国内第III相臨床試験開始に伴い研究開発費が同492百万円増の778百万円となったことが主因である。また、従業員数が前期末比5名増の23名となったことで人件費が増加した。営業外収支が前期比213百万円悪化したが、第三者割当増資に伴い株式交付費225百万円を計上したことによる。

エクイティファイナンスにより事業活動資金を確保する方針

2. 財務状況

2026年3月期末の資産合計は前期末比448百万円増加の1,847百万円となった。流動資産では現金及び預金が237百万円増加したほか、売掛金が147百万円増加した。固定資産では有形固定資産が9百万円、投資その他の資産が6百万円増加した。

負債合計は前期末比123百万円増加の619百万円となった。未払金が102百万円、買掛金が22百万円それぞれ増加した。純資産合計は同325百万円増加の1,227百万円となった。当期純損失1,002百万円の計上により利益剰余金が減少した一方で、第三者割当増資により資本剰余金が1,327百万円増加した。

手元キャッシュは1,480百万円となったが、2027年3月期も研究開発費の増加により損失が続く見通しであることから、引き続きエクイティファイナンスによる資金調達を模索していくものと予想される。

貸借対照表

(単位：百万円)

	24/3期末	25/3期末	26/3期末	増減
流動資産	1,511	1,362	1,794	432
現金及び預金	1,312	1,243	1,480	237
売掛金	184	66	213	147
固定資産	38	35	52	16
資産合計	1,550	1,398	1,847	448
流動負債	356	325	619	294
固定負債	171	171	-	-171
負債合計	527	496	619	123
有利子負債	251	171	171	-
純資産合計	1,022	902	1,227	325
<安全性>				
自己資本比率	66.0%	64.5%	66.4%	1.9pp
有利子負債比率	24.5%	19.0%	13.9%	-5.1pp

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

2027年3月期もNaPPSの国内第III相臨床試験に傾注

3. 2027年3月期の業績見通し

2027年3月期の業績は、売上高で前期比20.1%増の532百万円、営業損失で1,067百万円、経常損失で1,092百万円、当期純損失で1,093百万円となる見通しである。

2027年3月期業績見通し

(単位：百万円)

	26/3期 実績	27/3期 予想	前期比	
			増減額	増減率
売上高	443	532	88	20.1%
売上総利益	238	238	0	0.1%
販管費	1,023	1,360	336	32.9%
営業損益	-785	-1,067	-281	-
経常損益	-1,001	-1,092	-90	-
当期純損益	-1,002	-1,093	-90	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

売上高の内訳は、医薬品開発事業で55百万円（前期比23百万円増）、医薬品販売事業で475百万円（同68百万円増）、コンサルティング事業で1百万円（同2百万円減）となる見通しである。医薬品開発事業は韓国企業向けNaPPS原薬の販売に係る収益分配金の増加を見込む。医薬品販売事業ではオフアコルカプセル50mgのCTX患者向けの販売拡大に向けて医療従事者向けプロモーション活動を強化することで増収を目指す。

売上総利益は238百万円とほぼ前期並みの水準にとどまる一方で、研究開発費を中心に販管費が同336百万円増加することが営業損失の拡大要因となる。一方、営業外収支で前期に計上した株式交付費がなくなることで、経常損失はほぼ前期並みの水準にとどまる見通しである。

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