

ホリスティック企業レポート ケイファーマ 4896 東証グロース

新規上場会社紹介レポート
2023年10月20日発行

一般社団法人 証券リサーチセンター



証券リサーチセンター
審査委員会審査済 20231019

**中枢神経疾患領域を対象とした iPS 創薬事業と再生医療事業を展開
iPS 創薬の ALS 治療薬、再生医療の亜急性期脊髄損傷治療法の上市を目指す**アナリスト:鎌田 良彦 +81(0)3-6858-3216
レポートについてのお問い合わせはこちら info@stock-r.org

【4896 ケイファーマ 業種:医薬品】

決算期	売上高 (百万円)	前期比 (%)	営業利益 (百万円)	前期比 (%)	経常利益 (百万円)	前期比 (%)	純利益 (百万円)	前期比 (%)	EPS (円)	BPS (円)	配当金 (円)
2021/12	-	-	-219	-	-220	-	-228	-	-30.1	-107.0	0.0
2022/12	-	-	-353	-	-359	-	-392	-	-42.1	-122.8	0.0
2023/12 予	1,000	-	302	-	266	-	180	-	17.7	-	0.0

- (注) 1. 単体ベース、2023/12期は会社予想
2. 2023年8月6日付で1:1,000の株式分割を実施、1株当たり指標は遡って修正
3. 2023/12期予想EPSは、公募株式数(1,680千株)を含めた予定期中平均株式数で算出

【株式情報】	【会社基本情報】	【その他】
株価 760円(2023年10月19日)	本店所在地 東京都港区	【主幹事証券会社】
発行済株式総数 11,559,000株	設立年月日 2016年11月1日	SBI証券
時価総額 8,785百万円	代表者 福島 弘明	【監査人】
上場初値 875円(2023年10月17日)	従業員数 16人(2023年8月)	有限責任 あずさ監査法人
公募・売出価格 950円	事業年度 1月1日~12月31日	
1単元の株式数 100株	定時株主総会 事業年度終了後3か月以内	

> 事業内容

(注1) Chief Science Officer の略。最高科学責任者

(注2) Chief Technology Officer の略。最高技術責任者

◆ 中枢神経疾患領域を対象とした iPS 創薬事業と再生医療事業を展開

ケイファーマ(以下、同社)は、慶應義塾大学医学部生理学教室の岡野栄之教授(同社取締役 CSO^{注1})と同整形外科学教室の中村雅也教授(同社取締役 CTO^{注2})の基礎研究の成果を、中枢神経疾患領域を対象とした iPS 創薬及び再生医療として実用化するために16年11月に設立されたバイオベンチャーである。

同社は、医薬品等の研究・開発・製造・販売の単一セグメントであるが、iPS 細胞を活用した iPS 創薬事業と再生医療事業の2つの事業を展開している。

◆ iPS 創薬事業

iPS 創薬とは、患者の細胞から疾患の情報を持つ疾患特異的 iPS 細胞を作製し、健常者の iPS 細胞との比較もしながら、疾患に効果がある化合物のスクリーニングを行い、治療薬を開発するものである。iPS 細胞は様々な細胞や器官に分化できるため、疾患特異的 iPS 細胞から分化誘導した疾患モデル細胞の作製と、疾患モデル細胞を対象とした治療薬の開発も可能となる。

同社の iPS 創薬事業では、中枢神経疾患の治療薬の開発において、患者の iPS 細胞から分化誘導した疾患モデル神経細胞を用いて治療効果がある薬剤候補物質を選定する際に、既に他の疾患のために開発された薬剤や化合物を対象にスクリーニングを行う、ドラッグリポジショニングの手法を用いている。

iPS 創薬は、動物実験等の段階を経ることなく、ヒトの細胞を対象に治療薬の開発が行えること、ドラッグリポジショニングの手法を活用すれば、既に安全性が確認された化合物や薬剤の中から特定の疾患に効果がある薬剤を抽出できること等から、患者数の少ない希少疾患の治療薬の開発や、開発期間と開発費用を削減できる創薬手法として注目されている。

◆ 再生医療事業

再生医療事業では、神経損傷疾患である脊髄損傷を対象に、他家 iPS 細胞^{注3}から分化誘導した神経前駆細胞^{注4}を患者に移植することで損傷部位の治療を行う研究開発を進めている。同社では、慶應義塾大学と共同で、損傷による炎症が低下し、移植した神経前駆細胞が生着しやすい損傷後約 4 週間以内の亜急性期の脊髄損傷治療法の研究開発を優先的に進めている。

(注3)他人の細胞から樹立した iPS 細胞

(注4)中枢神経を構成するニューロン、アストロサイト、オリゴデンドロサイトの 3 系統の細胞へ分化できる細胞

◆ 事業モデル

同社は、慶應義塾大学医学部等の基礎研究や特許等の知的財産権の独占的な実施許諾権に基づき、開発パイプラインについて、製薬企業等のパートナーとの共同研究契約や、パイプラインの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て、契約一時金収入や開発段階に応じたマイルストーン収入を得る。製品の上市後には販売額に応じた販売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を得る。各段階の収入を得た場合、特許権の保有者である慶應義塾大学等には、再許諾実施に伴う支払いを行う。

◆ 開発パイプライン

同社の iPS 創薬事業、再生医療事業の開発パイプラインは以下の通りとなっている。

1) iPS 創薬事業

① KP2011(筋萎縮性側索硬化症治療薬)

KP2011 は、筋萎縮性側索硬化症 (以下、ALS) を対象とする治療薬である。ALS 患者の細胞から作製した iPS 細胞を分化誘導した神経細胞に対して、1,200 を超える化合物のスクリーニングを行った結果、パーキンソン病治療薬のロピニロール塩酸塩を候補治療薬として選定し、慶應義塾大学医学部で医師主導治験 (第I相試験/前期第II相試験) を実施した。

臨床試験は 18 年 12 月から 21 年 3 月の期間に、ALS 患者 20 例に対してロピニロール塩酸塩の実薬投与 13 例、プラセボ投与 7 例で行われた。その結果、主要評価項目である安全性については最大用量投与による有害事象の殆どは軽度なもので、副作用等による内服の中止がなかったことから、副作用に対する忍容性も確認された。

(注 5)Proof of Concept の略。候補薬剤が患者に対して実際に治療効果を示すことを、適切な指標を用いて実証すること

有効性については、ロピニロール塩酸塩の実薬群がプラセボ群と比較して、ALS 患者の総合評価や日常活動量の低下を抑制する効果が認められた。死亡または一定の病気の進行までの期間を生存期間として検討した結果、生存期間の中央値は、実薬群 50.3 週、プラセボ群 22.4 週で、実薬群が病気の進行を 27.9 週間(約 7 カ月)遅らせる可能性が示された。ALS 患者に対するロピニロール塩酸塩の安全性と有効性が確認され、世界で初めて ALS に対する iPS 細胞創薬の臨床での PoC^{注5}を取得している。

この医師主導治験の結果を踏まえ、KP2011 は 23 年 3 月に中枢神経用薬を主力とするアルフレッサ ファーマ(大阪市中央区)に導出され、今後は 20 年代後半での上市を目指しアルフレッサ ファーマでの企業治験が行われる予定である。

アルフレッサ ファーマへの導出と並行して、慶應義塾大学との共同研究で、ロピニロール塩酸塩が新規メカニズムに基づいて ALS 治療効果を示す新規薬剤であることを明確にする研究開発を行っている。

② KP2021(前頭側頭型認知症治療薬)

脳の前頭葉と側頭葉前方に萎縮がみられる前頭側頭型認知症の治療薬である KP2021 は、化合物のスクリーニングを完了し、詳細な解析を実施中である。一定の作用メカニズムが確認できた段階で、医薬品等の承認審査を行う医薬品医療機器総合機構(以下、PMDA)との協議を行い、その後の開発を実施する計画である。

③ KP2032(ハンチントン病治療薬)

遺伝性の神経変性疾患であるハンチントン病の治療薬 KP2032 は、化合物の選定を進めている。今後、最終化合物を選定し、一定の作用メカニズムが確認できた段階で、PMDA との協議等を行う計画である。

④ KP2041(フェリチン症治療薬)

鉄を体の中に運搬するフェリチンを規定する遺伝子の変異で脳内に異常フェリチンが沈着するフェリチン症の治療薬である KP2041 は、基礎/探索研究段階にあり、化合物スクリーニングに向けた評価系を構築中である。

⑤ KP2051(那須・ハコラ病治療薬)

脳と骨の疾患である那須・ハコラ病の治療薬 KP2051 は、基礎/探索研究段階にあり、化合物スクリーニングに向けた評価系を構築中である。

⑥ KP2061(難聴治療薬)

難聴治療薬である KP2061 は、慶應義塾大学で若年性難聴治療薬として用途特許取得済みの化合物であり、北里大学との共同研究により有効な疾患についての検討を行っている。

【 図表 2 】 再生医療事業の開発パイプライン

開発内容	開発コード	基礎/探索研究	前臨床研究	第Ⅰ相試験	第Ⅱ相試験	第Ⅲ相試験	申請/承認	共同研究先(提携先)	導出先	備考
亜急性期脊髄損傷	KP8011	■	■	■	■			慶應義塾大学	未定	慶應義塾大学にて医師主導臨床研究を実施中 臨床研究終了後の企業治験(PhⅡ/Ⅲ)に向けた準備中
慢性期脊髄損傷	KP8021	■						自社	未定	移植細胞への遺伝子を導入検討
慢性期脳梗塞	KP8031	■	■					大阪医療センター	未定	前臨床研究段階
慢性期脳出血	KP8041	■						大阪医療センター	未定	適応拡大に向け検討
慢性期外傷性脳損傷	KP8051	■						大阪医療センター	未定	適応拡大に向け検討

(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成

> 特色・強み

◆ 慶應義塾大学の研究成果活用や保有特許の独占的实施許諾

同社は、慶應義塾大学医学部生理学教室及び整形外科教室と共同研究を実施しており、慶應義塾大学が保有する特許権の独占的实施許諾を受けている。製薬メーカー等のパートナーとの共同研究や権利の導出等による新たな治療薬や治療法の開発を行うに際し、これら慶應義塾大学が持つ知的財産を利用できることが強みとなっている。

◆ iPS 創薬事業と再生医療事業の要素技術とノウハウ

同社は、iPS 細胞を活用して iPS 創薬事業と再生医療事業の 2 事業を展開し、①患者の疾患特異的 iPS 細胞から各疾患のモデル神経細胞を分化誘導する技術、②創薬に適した表現型^{注6}を構築する技術やノウハウ、③再生医療として iPS 細胞から神経前駆細胞に分化誘導する技術等の要素技術やノウハウに強みを持っている。

(注 6) 薬剤候補の化合物を細胞等に加えることで対象疾患に関連して起きる現象

> 事業環境

◆ ALS、脊髄損傷とも現状で根本的な治療方法はない

国内の ALS 患者は約 1 万人と推定されている。現状では根本的な治療方法はなく、薬物療法として病状の進行を遅らせるリルズールやエダラボンの服用、対症療法として身体の痛みや筋力低下を防ぐためのリハビリテーション(理学療法)がある。

開発中の ALS 治療薬・治療法としては、エーザイ(4523 東証プライム)の活性型ビタミン B12 である高用量メチルコバラミンが国内で医師主導の第Ⅲ相試験を終えている。京都大学 iPS 細胞研究所(CiRA)の井上治久教授らは、iPS 創薬の手法を用いて慢性骨髄性白血病治療薬のボスチニブをドラッグリポジショニングにより ALS 治療薬として開発を進めており、医師主導の第Ⅱ相臨床試験を開始している。

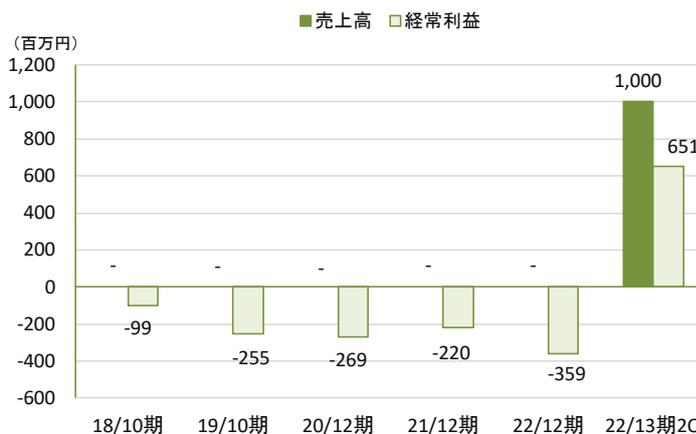
国内の亜急性期脊髄損傷の患者は年間約 5,000 人と推定されている。現状では根本的な治療方法はなく、リハビリテーションによる対症療法が主な治療法となっている。

> 業績

◆ 過去の業績推移

同社は16年11月に設立された後、iPS創薬事業、再生医療事業での研究開発を行い、22/12期までは売上高の計上はなく、損失を続けてきた。23/12期第2四半期累計期間(以下、上期)には、ALS治療薬のKP2011の国内開発権をアルフレッサファーマに導出したことに伴い、売上高1,000百万円(契約一時金500百万円、マイルストーン収入500百万円)、経常利益651百万円を計上した(図表3)

【図表3】業績推移



(注)20/12期は決算期変更に伴い14カ月決算。22/12期まで売上高の計上はない(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成

◆ 23年12月期会社計画

同社の23/12期計画は、売上高1,000百万円(前期は計上なし)、営業利益302百万円(同353百万円の損失)、経常利益266百万円(同359百万円の損失)、当期純利益180百万円(同392百万円の損失)である(図表4)。23年1月から6月までの実績に7月以降の予想値を加えた計画となっている。

【 図表 4 】 23 年 12 月期の会社計画

	22/12期		23/12期会社計画		
	(百万円)	構成比 (%)	(百万円)	構成比 (%)	前期比 (%)
売上高	-	-	1,000	100.0	-
売上原価	-	-	90	9.0	-
売上総利益	-	-	910	91.0	-
販売費及び一般管理費	353	-	607	60.7	72.0
研究開発費	163	-	307	30.7	88.3
人件費	92	-	147	14.7	59.8
その他販売費及び一般管理費	97	-	152	15.2	56.7
営業利益	-353	-	302	30.2	-
営業外収支	-6	-	-36	-	-
経常利益	-359	-	266	26.6	-
当期純利益	-392	-	180	18.0	-

(注) 端数処理の関係で合計と一致しない

(出所) 「東京証券取引所グロース市場への上場に伴う当社決算情報等のお知らせ」を基に証券リサーチセンター作成

売上高は上期に計上したアルフレッサ ファーマに導出した KP2011 に関する売上高を見込んでいる。売上原価も上期に計上済みの、独占的実施許諾を受けている特許の再実施許諾に関する対価として慶應義塾大学に支払った 90 百万円を見込んでいる。この結果、売上総利益は 910 百万円(前期は計上なし)の計画である。

販売費及び一般管理費(以下、販管費)は、研究開発費、人件費、その他販管費からなる。研究開発費は研究開発者の人件費、研究に必要な試薬等の購入費用、研究施設の賃借料等からなり、各パイプラインの研究開発計画に基づいて見込まれる費用を積み上げている。研究開発費は、新規の共同研究費、研究開発者の人件費増加、外注先への委託費用の増加等により 307 百万円(前期比 88.3%増)の計画である。

新規の共同研究費としては、iPS 事業では 23 年 6 月に北里研究所と締結した、難聴疾患に対する iPS 細胞由来聴覚系組織を用いた治療薬の臨床治験に向けた共同研究で 10 百万円を見込んでいる。再生医療事業では 23 年 8 月に大阪医療センターと締結した、ヒト iPS 細胞を活用した慢性期脳梗塞、脳出血、外傷性中枢神経損傷に対する新規再生医療等製品開発に関する共同研究で 30 百万円を見込んでいる。

人件費は役員報酬、研究開発者以外の従業員の給料及び手当からなり、従業員の増員に伴い 147 百万円(前期比 59.8%増)を見込んでいる。その他販管費は、監査法人等への業務委託費や本社の賃借料等からなり、152 百万円(同 56.7%増)を見込んでいる。これらの結果、販管費は 607 百万円(同 72.0%増)、営業利益は 302 百万円と計画している。

営業外収支では、営業外費用で上場に伴う株式交付費等で35百万円を見込んでおり、経常利益は266百万円の計画である。特別損失として固定資産の減損損失36百万円を見込み、法人税等は48百万円を見込んだ結果、当期純利益は180百万円の計画である。

◆ 成長戦略

iPS 創薬事業では、中枢神経疾患で ALS を始めとする各種難治性希少疾患の開発パイプラインの開発を進めているが、各神経疾患の病態には一部共通した遺伝子の作用やメカニズムがあると見られることから、患者数の少ない難治性疾患の創薬開発から、アルツハイマー病等の患者数の多い一般的な疾患の創薬開発を目指す「Rare to Common Diseases 戦略」を推進する考えである。

ALS 治療薬の KP2011 については、北米、欧州、インド、中国への海外展開を視野に入れ、製薬会社等パートナーとのライセンス契約締結に向けた事業開発を行う計画である。

国内の再生医療事業では、中長期的には自社で製造販売を行う取り組みを進める考えである。iPS 細胞を活用した技術以外の新規技術の研究を目指し、24/12 期中に米国に研究所を設立する考えである。

> 経営課題/リスク

◆ 開発パイプラインに関するリスク

同社が他社に導出した開発パイプラインを含め、医薬品及び再生医療等製品の研究開発においては、臨床試験での患者の募集の遅れや有効な効果を確認できないこと等により、開発の延長や中止になることがあり得る。そうした場合、同社の業績に影響を与える可能性がある。

◆ ベンチャーキャピタル等の株式保有比率の高さ

オーバーアロットメントによる売出しを考慮しない、上場時のベンチャーキャピタル等の保有株式比率は、44%に達すると試算される。ベンチャーキャピタル等が短期間に大量の株式を売却した場合、同社株式の需給バランスが悪化し、株価が不安定となる可能性がある。

◆ 1株当たり純資産について

同社の22/12期末の1株当たり純資産は-122.8円であった。これは、1株当たり純資産の算出は、自己資本からA種、B種、C種の優先株式の払込金額を控除した金額を、自己株式を除く普通株の期末発行済株式数で除して求めているため、自己資本額を優先株式払込額が上回りマイナスとなった。3種類の優先株式は23年6月に普通株式に転換しており、23年6月末の1株当たり純資産は187円程度と試算される。

【 図表 5 】 財務諸表

損益計算書	2021/12		2022/12		2023/12 2Q累計	
	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)
売上高	-	-	-	-	1,000	100.0
売上原価	-	-	-	-	90	9.0
売上総利益	-	-	-	-	910	91.0
販売費及び一般管理費	219	-	353	-	258	25.8
営業利益	-219	-	-353	-	651	65.1
営業外収益	0	-	0	-	0	-
営業外費用	1	-	5	-	0	-
経常利益	-220	-	-359	-	651	65.1
税引前当期(四半期)純利益	-229	-	-390	-	614	61.4
当期(四半期)純利益	-228	-	-392	-	514	51.4

貸借対照表	2021/12		2022/12		2023/12 2Q	
	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)	(百万円)	(%)
流動資産	204	99.5	1,370	99.7	2,221	99.8
現金及び預金	188	91.7	1,336	97.2	2,175	97.8
売上債権	-	-	-	-	-	-
棚卸資産	9	4.4	10	0.7	8	0.4
固定資産	1	0.5	3	0.2	3	0.1
有形固定資産	-	-	-	-	-	-
無形固定資産	-	-	-	-	-	-
投資その他の資産	1	0.5	3	0.2	3	0.1
総資産	205	100.0	1,374	100.0	2,225	100.0
流動負債	23	11.2	33	2.4	343	15.4
買入債務	2	1.0	10	0.7	109	4.9
固定負債	3	1.5	4	0.3	30	1.3
純資産	178	86.8	1,336	97.2	1,851	83.2
自己資本	178	86.8	1,336	97.2	1,851	83.2

キャッシュ・フロー計算書	2021/12	2022/12	2023/12 2Q累計
	(百万円)	(百万円)	(百万円)
営業キャッシュ・フロー	-196	-363	848
減価償却費	6	-	-
投資キャッシュ・フロー	0	-32	-9
財務キャッシュ・フロー	368	1,544	0
配当金の支払額	-	-	-
現金及び現金同等物の増減額	171	1,148	838
現金及び現金同等物の期末残高	188	1,336	2,175

(出所)届出目論見書を基に証券リサーチセンター作成

証券リサーチセンターについて

証券リサーチセンターは、株式市場の活性化に向けて、中立的な立場から、アナリスト・カバーが不十分な企業を中心にアナリスト・レポートを作成し、広く一般にレポートを公開する活動を展開しております。

※当センターのレポートは経済産業省の「価値協創のための統合的開示・対話ガイダンス」を参照しています。



■協賛会員

株式会社東京証券取引所
みずほ証券株式会社
太陽有限責任監査法人
PwC 京都監査法人
監査法人 A&A パートナーズ
株式会社プロネクサス

SMB C日興証券株式会社
EY 新日本有限責任監査法人
有限責任監査法人トーマツ
いちよし証券株式会社
仰星監査法人
日本証券業協会

大和証券株式会社
有限責任あずさ監査法人
株式会社SBI証券
Jトラストグローバル証券株式会社
監査法人アヴァンティア
日本証券アナリスト協会

野村證券株式会社
株式会社ICMG
三優監査法人
宝印刷株式会社

アナリストによる証明

本レポートに記載されたアナリストは、本レポートに記載された内容が、ここで議論された全ての証券や発行企業に対するアナリスト個人の見解を正確に反映していることを表明します。また本レポートの執筆にあたり、アナリストの報酬が、直接的あるいは間接的にこのレポートで示した見解によって、現在、過去、未来にわたって一切の影響を受けないことを保証いたします。

免責事項

- ・本レポートは、一般社団法人 証券リサーチセンターに所属する証券アナリストが、広く投資家に株式投資の参考情報として閲覧されることを目的として作成したものであり、特定の証券又は金融商品の売買の推奨、勧誘を目的としたものではありません。
- ・本レポートの内容・記述は、一般に入手可能な公開情報に基づき、アナリストの取材により必要な補充を加え作成されたものです。本レポートの作成者は、インサイダー情報の使用はもとより、当該情報を入手することも禁じられています。本レポートに含まれる情報は、正確かつ信頼できると考えられていますが、その正確性が客観的に検証されているものではありません。また、本レポートは投資家が必要とする全ての情報を含むことを意図したものではありません。
- ・本レポートに含まれる情報は、金融市場や経済環境の変化等のために、最新のものではなくなる可能性があります。本レポート内で直接又は間接的に取り上げられている株式は、株価の変動や発行体の経営・財務状況の変化、金利・為替の変動等の要因により、投資元本を割り込むリスクがあります。過去のパフォーマンスは将来のパフォーマンスを示唆し、または保証するものではありません。
- ・本レポート内で示す見解は予告なしに変更されることがあり、一般社団法人 証券リサーチセンターは、本レポート内に含まれる情報及び見解を更新する義務を負うものではありません。
- ・一般社団法人 証券リサーチセンターは、投資家が本レポートを利用したこと又は本レポートに依拠したことによる直接・間接の損失や逸失利益及び損害を含むいかなる結果についても一切責任を負いません。最終投資判断は投資家個人においてなされなければならないため、投資に対する一切の責任は閲覧した投資家にあります。
- ・本レポートの著作権は一般社団法人 証券リサーチセンターに帰属し、許可なく複製、転写、引用等を行うことを禁じます。