

R&D説明会

～2031年に向けた成長戦略～

2025年12月10日

科研製薬株式会社



KAKEN

- 本説明資料に記載されている業績予想等は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が合理的と判断したものです。
- 新薬が発売されるまでには、多額の資金と長い開発期間が必要となります。
- 有効性と安全性を確認しながら慎重に開発を進めていくうちには、開発中止となる可能性があります。
- パイプラインは、現時点の開発計画に基づいて作成しております。
- 開発計画の進行に伴い、変更等が発生する可能性があります。
- 医薬品（開発中を含む）に関する情報が含まれていますが、これらは宣伝広告や医学的アドバイスを目的としているものではありません。

1 企業ビジョンとR&D戦略

2 科研製薬のR&D体制

3 創薬研究の変革

4 免疫領域の創薬研究
～グローバル展開

5 パイプライン

6 希少疾患への取り組み

7 その他の導入開発品

8 市場規模・タイムライン

1

企業ビジョンとR&D戦略

VISION

1. 画期的新薬の迅速な創出・提供により健康寿命延伸に貢献し続ける企業
2. 皮膚科、整形外科領域を中心にグローバルに展開する創薬企業

VISIONの 実現に向けた戦略

“3Xs”

～3つのTransformation～

1st X
研究開発
Transformation

2nd X
海外展開
Transformation

3rd X
経営基盤
Transformation

VISION

重点創薬3領域を中心に世界に通ずる画期的新薬を継続的に上市

方針

- ・ 自社研究基盤の活用
- ・ 新規診療領域への展開
- ・ 新たなモダリティへの挑戦
- ・ 研究開発への積極的投資

施策

- ① **上市確度の向上**
 - ・ 研究開発期間の短縮に向けたプロセス革新・効率化
 - ・ 成功確度の向上に向けたアプローチの多様化
- ② **パイプラインの拡充**
 - ・ 導入の拡大
 - ・ 開発早期における外部活用アプローチ
 - ・ 積極的な適応拡大・リポジショニング
- ③ **新規ニーズ・海外展開への対応**
 - ・ アンメットメディカルニーズに向けた独自ターゲットの見極め
 - ・ 海外開発を見据えた研究開発
- ④ **新規分野へのチャレンジ**
 - ・ 再生医療を実現化するモダリティの選定・実行
 - ・ 整形外科・皮膚科領域でのデジタル活用の検討

研究開発等投資額として
10年間で2,600億円を設定

目標

- ・ 10年間で8品目上市するためのパイプライン確保（P1以降プロジェクトを常時8品目以上）
- ・ 毎年1品目以上の開発導入品or販売提携品を確保（10年で10品目、うち海外展開5品目）

R & Dに関する基本方針

▶ 研究開発については、以下の4つを基本方針とし、各種施策に取り組む。

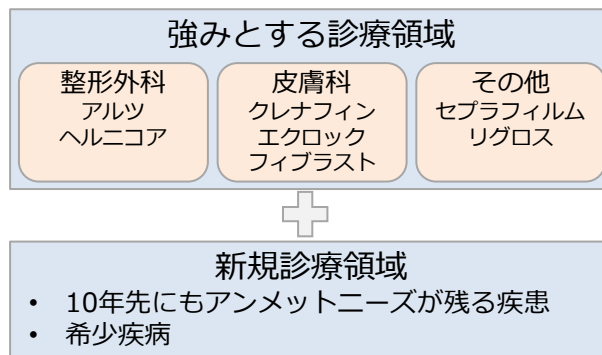
自社研究基盤の活用

- ✓ 重点創薬3領域（免疫系、神経系、感染症）を中心とし、自社研究基盤を強化する



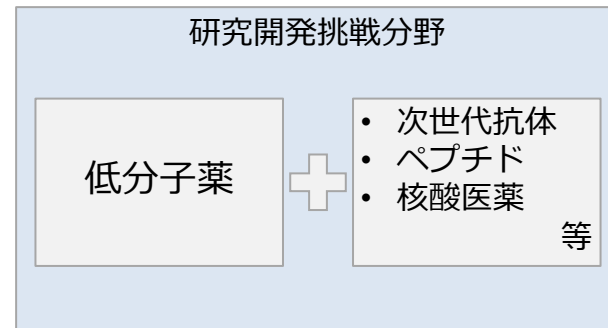
新規診療領域への展開

- ✓ 将来のアンメットメディカルニーズを捉えて新たに強みとなる診療領域に展開する



新たなモダリティへの挑戦

- ✓ 従来の低分子医薬では狙うことが困難であった創薬ターゲットに対するアプローチを可能とする

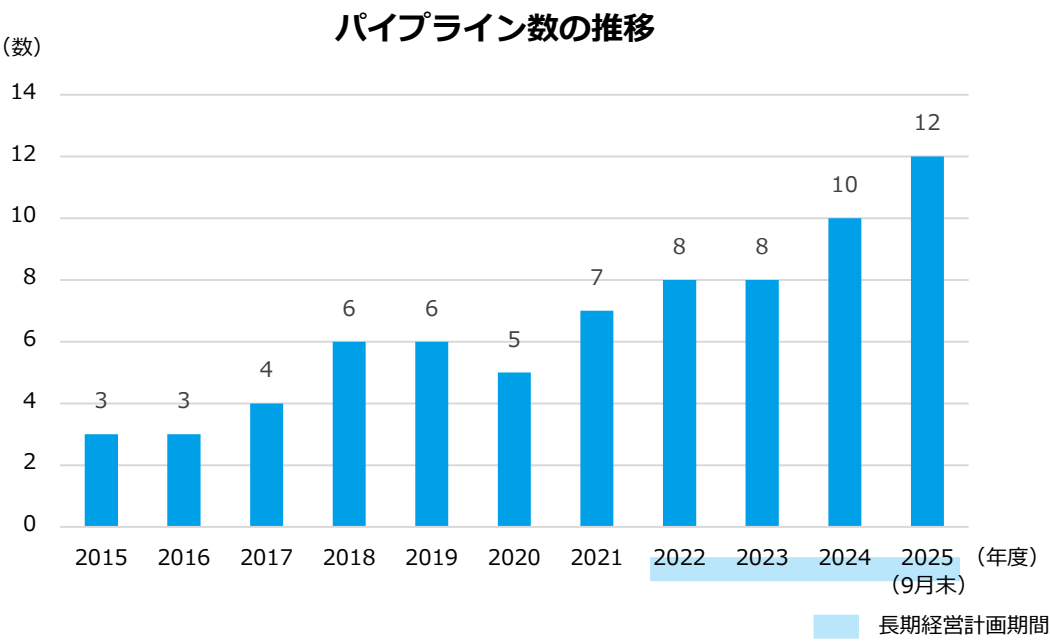
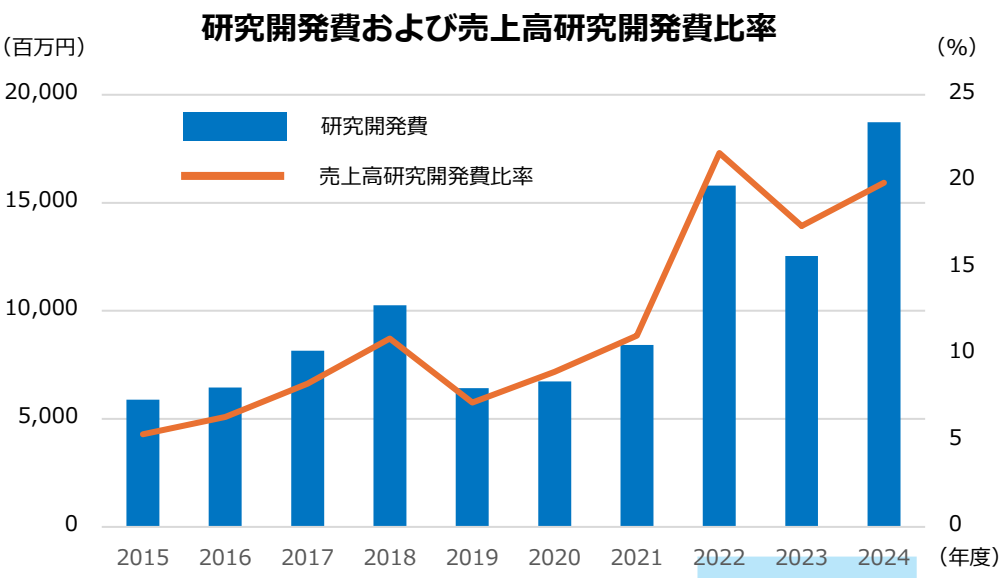


研究開発への積極的投資

- ✓ 研究開発等投資額として10年間で、2,600億円（うち、パイプライン拡充に向けたM&A、導入等の費用として900億円）を設定
- ✓ 研究開発早期からの外部連携
 - シーズ探索：アカデミア・ベンチャーコンソーシアムの活用 等
 - 共同研究/開発・導入：国内外医薬品関連企業との協業・M&A 等

* OA (Osteoarthritis) : 変形性関節症

研究開発費の推移



*パイプラインの推移は各年度の本決算開示（翌年5月）時点

2021年以降のトランザクション

自社開発品のステージアップ	NM26、KP-483、KP-910、KP-723（STAT6）
導入	テリパラチドBS、KC-8025、チルダセルフォント、シルクエラスチン、ESK-001、セベトラルスタット、ナベニバルト、gMSC1
導出・知的財産譲渡	クレナフィン（中国、欧州）、エクロック（韓国）、NM26（J&J）、STAT6（J&J）
M&A	アーサム社（KP-001、KP-648）、アーディ社（Fyarro）
共同研究・開発契約	NM26-2198（ニューマブ社）、ND081（ニューマブ社）、エクソソーム創薬（セルソース）、Axcelead DDP
その他	AI創薬プラットフォーム（Elix）、DTx（クロスメッド）

2

科研製薬のR&D体制

ロケーション

新薬創生センター (京都事業所)

研究推進部

合成部

薬理部

薬物動態・安全性部 (探索G)



新薬創生センター (静岡事業所)

薬物動態・安全性部
(代謝G、安全性G)

CMCセンター (静岡事業所)

原薬部

製剤部

分析部

CMC・QA部



静岡工場と併設

本社

臨床開発部

信頼性保証部

研開企画部

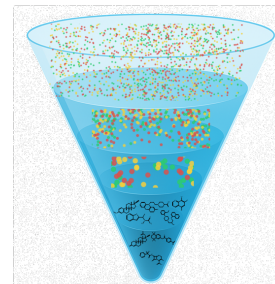
研開業務管理センター



3

創薬研究の変革

AI創薬の開始～現在～今後の取り組み：データ駆動型創薬の実践に向けて



- ▶ 標的探索～臨床候補取得まで
データ駆動型のアプローチ増
- ▶ 創薬サイクル短縮・同時推進
- ▶ 自社創薬PJの稼働数アップ
- ▶ 成功確度の向上

社外コンソーシアムからも技術導入・検証

- ▶ 社内データでファインチューニング
- ▶ 連合学習等にも取り組み、基盤拡張

大規模仮想スクリーニング の活用検討

データ活用基盤
構築・整備

2031年度

2026年度

創薬基盤システム
更新

2025年度

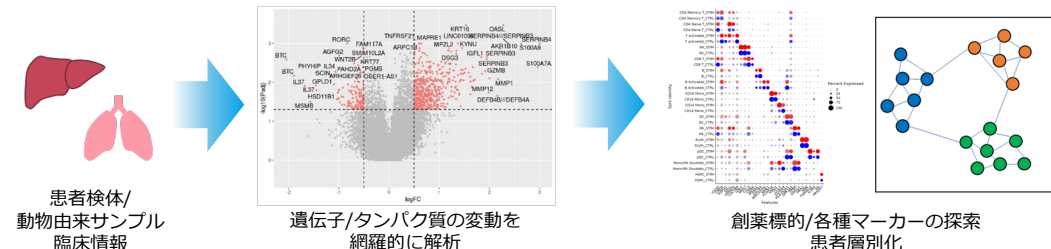
2022年度

AIプラットフォーム導入



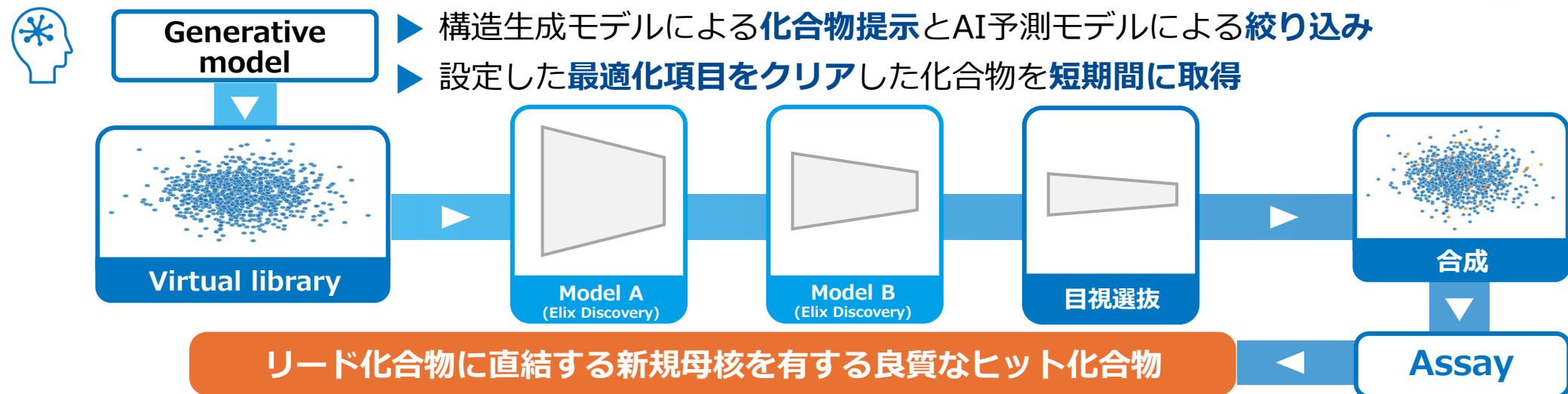
- ・ AIエンジン活用定着
- ・ DAIIAモデル実装
- ・ BI解析基盤構築
- ・ データ基盤整備に着手

オミクス解析（ゲノム、トランスクリプトーム、プロテオーム、メタボローム）

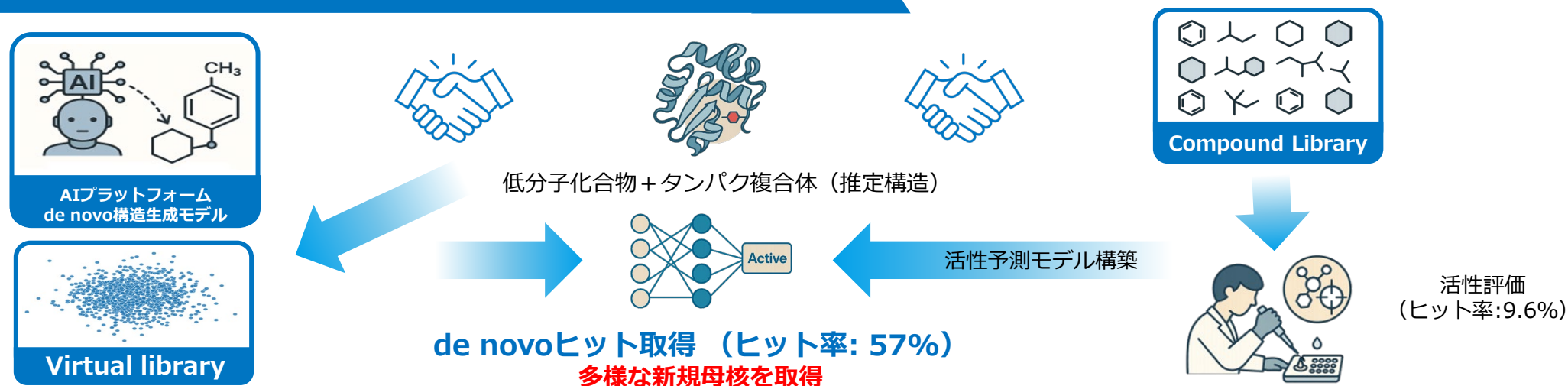


- ▶ 自社創薬PJへのバイオインフォマティクス（BI）解析の適用
- ▶ 社内解析基盤による標的探索の検証・実践

活用例1：構造生成モデルを活用した良質な新規ヒット取得



活用例2：De novoデザインによるヒット取得

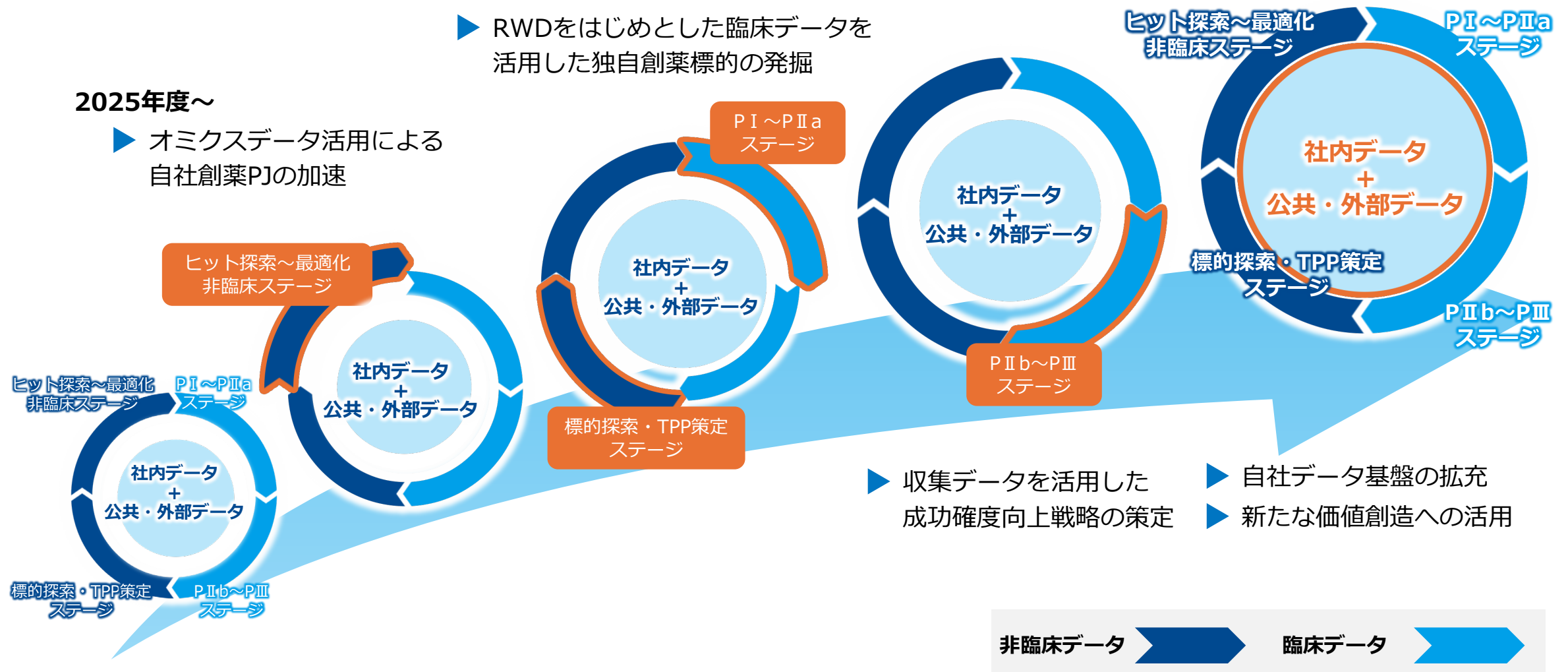


オミクス情報を活用したデータ駆動型創薬の実践に向けて

- ▶ 非臨床データを臨床開発に活用
- ▶ RWDをはじめとした臨床データを
活用した独自創薬標的の発掘

2025年度～

- ▶ オミクスデータ活用による
自社創薬PJの加速



4

免疫領域の創薬研究～グローバル展開

➤ NM26…抗体医薬品（二重特異性）

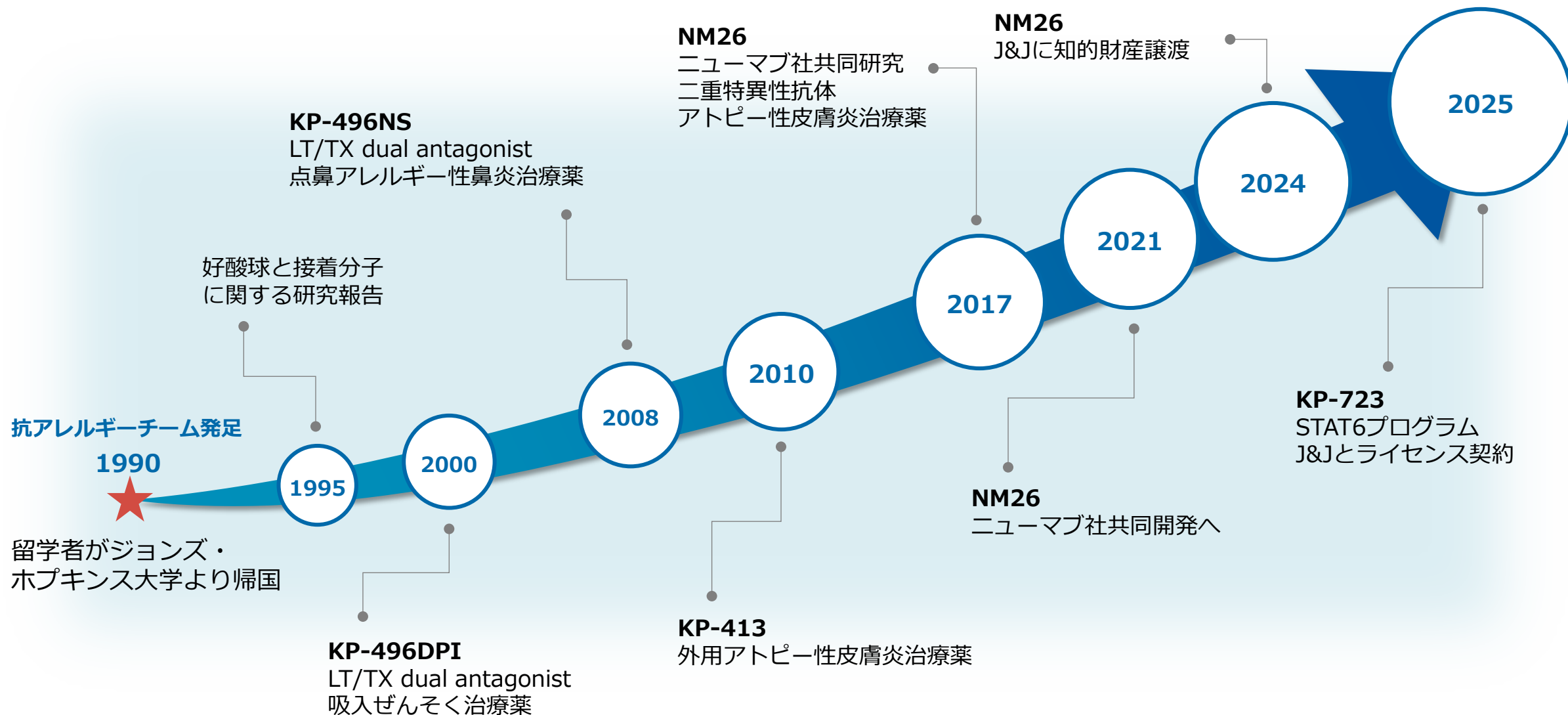
- IL-4/IL-13/IL-31を同時阻害
 - ニューマブ社との共同研究・開発
- ▶ アンメットニーズへの対応、既存抗体薬との差別化
▶ J&Jへの知的財産譲渡 ▶ グローバル展開へ

➤ KP-723…低分子STAT6阻害薬

- 2型炎症をターゲットとした低分子経口剤
 - 自社創薬・開発
 - 最大マイルストン12億ドル+ロイヤリティ収入
- ▶ アンメットニーズへの対応、投与利便性
▶ J&Jとのライセンス契約 ▶ グローバル展開へ

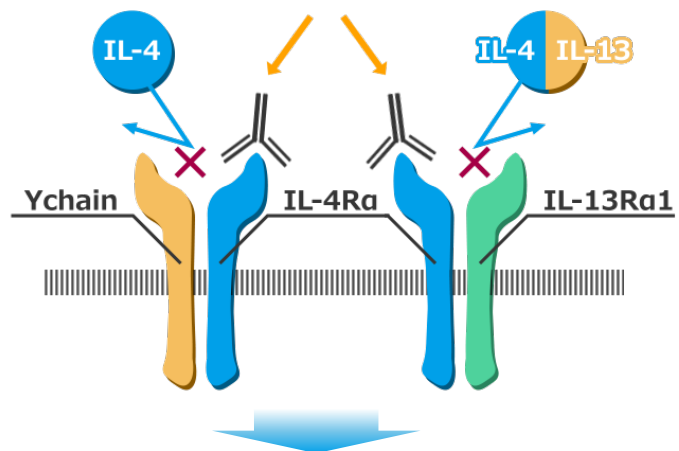
自社創薬研究から大型グローバル展開品へ

科研製薬のアレルギー性疾患治療薬の創薬研究



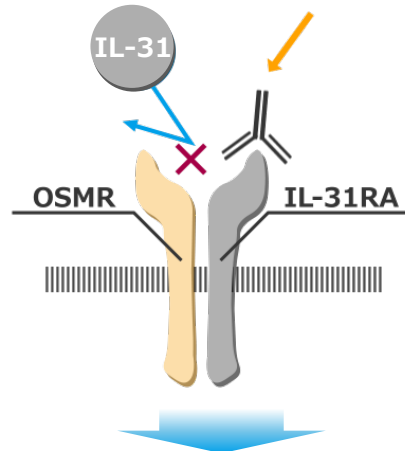
アトピー性皮膚炎など2型炎症性疾患に対する医薬品開発

抗IL-4Rα抗体



皮膚バリア機能障害と慢性炎症の増悪

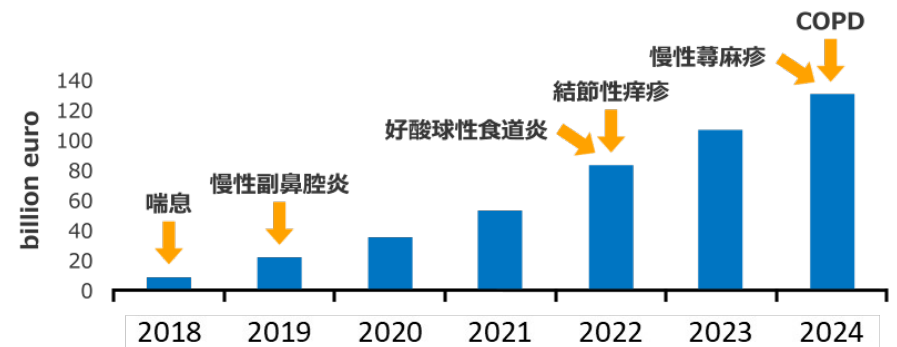
抗IL-31RA抗体



かゆみ

(作図) 科研製薬

- ・デュピルマブの2024年売上は2兆円以上
- ・標的に基づく適切な効能追加が売上に寄与



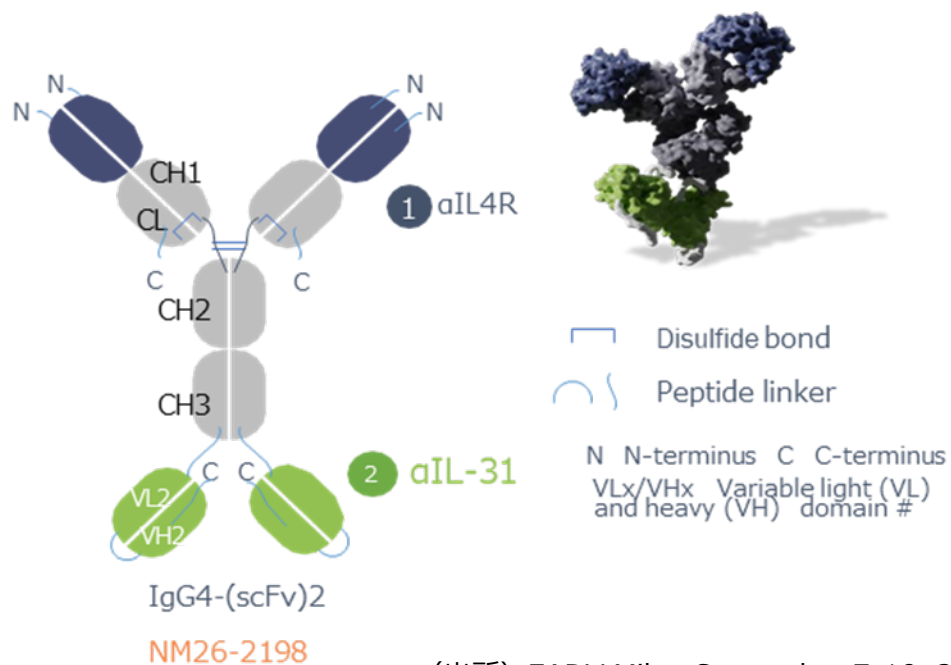
➡ 効能追加 (グローバル)

(出典) Sanofi HP開示資料より作図

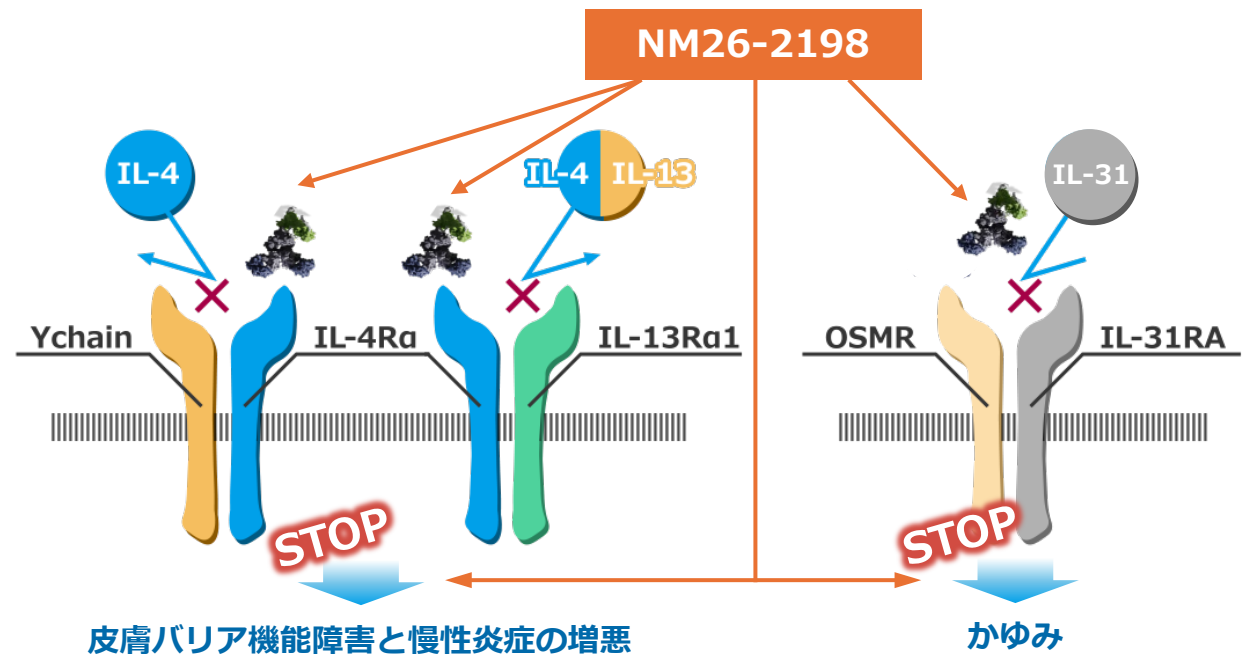
IL-4RαおよびIL-31RAは、アトピー性皮膚炎のプロミッシングな標的である

NM26：アトピー性皮膚炎の治療を目的とした二重特異性抗体

- ▶ アトピー性皮膚炎の治療を目指す**二重特異性抗体**
- ▶ **IL-4RaとIL-31**の2つの標的に**同時に結合**
- ▶ IL-4/IL-13シグナル伝達の阻害と、IL-31の中和を**一剤で制御**する



(出所) EADV Milan September 7-10, 2022



(作図) 科研製薬

NM26-2198はたった1つの抗体でアトピー性皮膚炎の主訴をブロック

2型炎症をターゲットとした経口STAT 6 阻害剤

デュピルマブとSTAT6阻害剤の違い

▶ 標的の違い

抗体は細胞外のIL-4Raを阻害

STAT6阻害剤は細胞内のシグナル伝達を直接阻害

▶ 作用範囲の違い

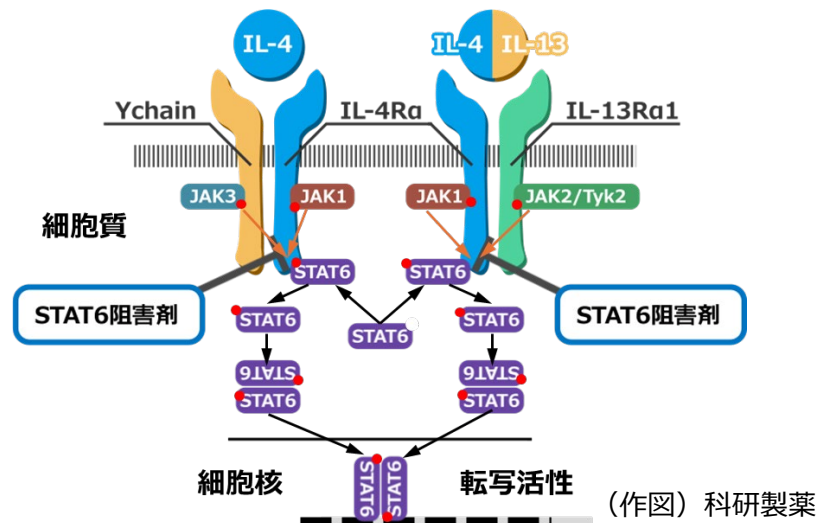
抗体はIL-4/IL-13のみに特化した阻害薬

STAT6阻害剤はSTAT6関連シグナルを広く阻害

▶ 投与経路の違い

抗体は注射剤（皮下投与）

STAT6阻害剤は経口剤



STAT 6 : IL-4/IL-13シグナルのマスター転写因子

STAT6は多くの作用を有する

▶ Th2細胞の分化促進（免疫応答）

▶ IgE産生の促進（B細胞への作用）

▶ 気道過敏性（喘息・アレルギー反応）

その阻害剤は広範囲の2型炎症に対する治療薬となる可能性があり、期待が集まっている



2024年12月26日

各位

会社名 科研製薬株式会社
代表者名 代表取締役社長 堀内 裕之
(コード番号 4521 東証プライム市場)
問合せ先 広報 I R 部 近藤 康彦
(TEL. 03-5977-5002)

STAT6 阻害剤に関するライセンス契約締結のお知らせ

科研製薬株式会社（本社：東京都文京区、社長：堀内裕之、以下「科研製薬」）は、科研製薬が2型炎症性疾患（アトピー性皮膚炎、喘息など）に対する次世代の経口治療薬として開発中の「STAT6 プログラム」（以下「本プログラム」）に関するグローバルにおける開発、製造及び商業化に関する独占的なライセンスを Johnson & Johnson に許諾する契約（以下「本契約」）を、本日締結しましたのでお知らせいたします。

**注目度と完成度の高さから
Johnson & Johnsonとライセンス契約締結へ**

NM81：ニューマブ社との新たな共同研究～開発へ

創薬コンセプト

2024年11月共同研究開始～2025年11月共同開発へ

炎症性腸疾患（IBD）のアンメットニーズ

- ▶ 生物学的製剤やJAK阻害剤の臨床試験での**臨床的寛解率**は高くても**30-40%程度**¹⁾
 - ➡ より高い有効性を示す薬剤が求められている

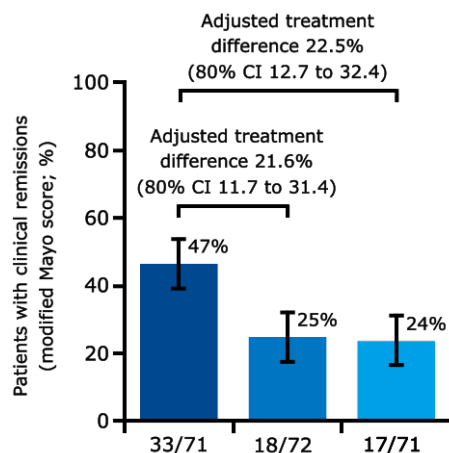
新たな知見

標的の異なる**2つの抗体の併用投与**で、臨床的寛解率および**内視鏡的寛解かつ組織学的寛解が大きく増加**²⁾

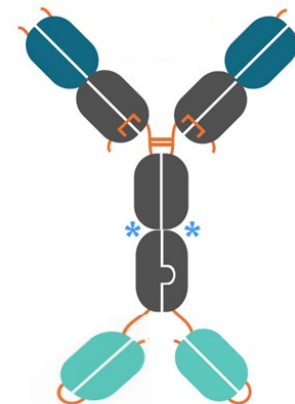
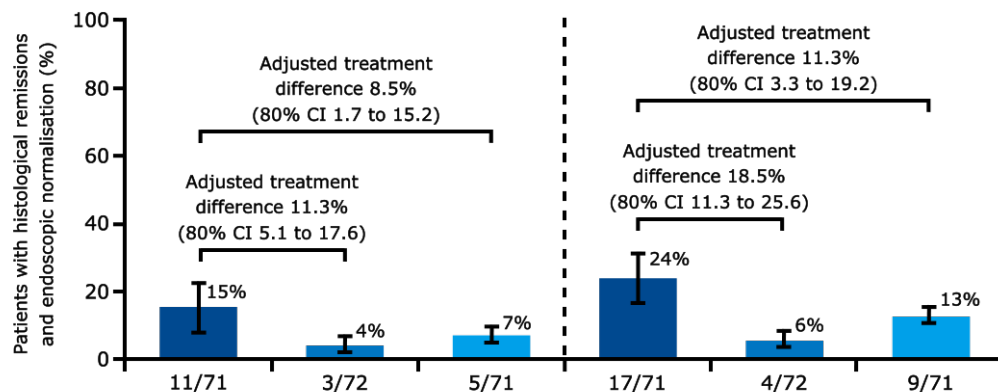
創薬コンセプト

- ▶ 複数の標的を1分子で阻害
 - ➡ 既存薬より高い臨床寛解率を期待

臨床的寛解率（12 wks）



内視鏡的寛解かつ組織学的寛解



(出典) EADV Milan September 7-10, 2022

1) Gastroenterol Hepatol (N Y). 2023 Jan; 19(1): 31-33.
2) Lancet Gastroenterol Hepatol, 2023; 8: 307-20

5

パイプライン

パイプラインの状況

自社創薬・導入

2025年11月10日時点

※開発段階は臨床試験の準備期間を含む

プロダクト	開発段階※	診療領域	予定適応症	備考
KAR	PⅢ	皮膚科、小児科	アタマジラミ症	アーバー・ファーマシューティカルズ社（現アズリティ社）より導入（海外での製品名：Sklice）
KP-001	PⅢ	小児科、形成外科、血液腫瘍科、皮膚科	難治性脈管奇形	自社創薬品 検証的試験のトップラインデータを公表
KC-8025	PⅢ	消化器内科、肝臓内科、内科	原発性胆汁性胆管炎	シーマベイ・セラピューティクス社（現ギリアド・サイエンシズ社）より導入 海外での製品名：Livdelzi（US,UK,CA） Lyvdelzi（EU）
ESK-001	PⅢ	皮膚科	尋常性乾癬	アルミス社より導入 アルミス社が国際共同PⅢ試験を実施中
ナベニバルト	PⅢ	アレルギー科、皮膚科、内科、耳鼻咽喉科	遺伝性血管性浮腫	アストリア・セラピューティクス社より導入 アストリア社が国際共同PⅢ試験を実施中
KP-483	PⅠ	—	固形がん（がん免疫療法）	自社創薬品
KP-910	PⅠ	整形外科、ペインクリニック科、糖尿病内科	末梢性神経障害性疼痛	自社創薬品
チルダセルフォント	PⅠ	小児科、内科	先天性副腎過形成症	スプルー・バイオサイエンス社より導入
KP-001（米国）	PⅢ	小児科、形成外科、血液腫瘍科、皮膚科	難治性脈管奇形	自社創薬品 PⅢ実施に向けて準備中

※ジョンソン・エンド・ジョンソン社（J&J社）とライセンス契約を締結したKP-723（STAT6阻害剤）は現在、前臨床段階であり、当社がPⅠ試験完了まで進めます。

その他の開発状況

その他の開発状況

2025年11月10日時点

プロダクト	予定適応症	開発段階	備考
セベトラルスタット	遺伝性血管性浮腫	申請中	・ライセンス元のカルビスタ・ファーマシューティカルズ社が製造販売承認を申請中 ・米国、欧州で承認取得（海外での製品名：Ekterly） ・日本での独占的販売権を有する
gMSC1	軟骨欠損を伴う 変形性膝関節症	PⅢ準備中	・再生医療等製品（同種（他家）滑膜間葉系幹細胞由来三次元人工組織） ・ライセンス元のツーセル社が製造販売承認の取得に向けた開発を実施する ・日本国内の整形外科領域における本製品の共同開発権、独占的販売権を有する
NM26	アトピー性皮膚炎	PⅡ	・知的財産譲渡に伴い、J&J社が臨床試験を実施中 ・J&J社が日本で承認取得するすべての適応症について販売提携契約を交渉するオプション権を有する

海外導出品の状況

一般名 （国内販売名）	予定適応症	開発段階	導出先（開発国）
エフィナコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	PⅢ	AIM社（中国）
エフィナコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	承認	アルミラル社（ドイツ：2025年8月に製造販売承認を取得） ※イタリアでは2025年3月に製造販売承認を取得
ソフピロニウム臭化物 （エクロック）	原発性腋窩多汗症	承認	ドンファ社（韓国：2025年8月に販売承認を取得）

KAR：既存治療で効果不十分なアタマジラミ症

イベルメクチン0.5%外用剤

厚生労働省の「医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬検討会議」における開発企業の公募に対し、科研製薬が開発を申し出て、2019年より国内開発開始

- ▶ 皮膚科領域のアンメットメディカルニーズを満たすことができる薬剤である
- ▶ 開発パイプラインの拡充

適応症

既存治療で効果不十分なアタマジラミ症

病 態

- ▶ 成虫・幼虫は髪の毛にしがみつき、頭皮から吸血する。吸血部はかゆみを生じたり、掻きすぎて頭皮に炎症を起こす
- ▶ 頭同士接触、タオル・くし・枕・帽子の共用、あるいは 学校・保育園での集団生活 を通じて広がる

治 療

医療用医薬品がない。

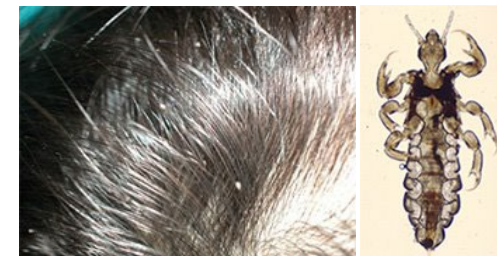
市販されている駆除薬（例えばフェノトリン）のパウダーやシャンプーが主流。

パウダーは髪に散布後 1～2 時間おいて洗い流す、シャンプータイプは髪を濡らしてから使い、5 分後に洗い流す方法。ただし、卵（ニット）への効果が弱いため、通常は3日に1回・3～4回繰り返す駆除が推奨。

国内患者数

約83万世帯／年

Naomi S, et al., *Med. Entomol. Zool.*, 60(3), 225-231, 2009.

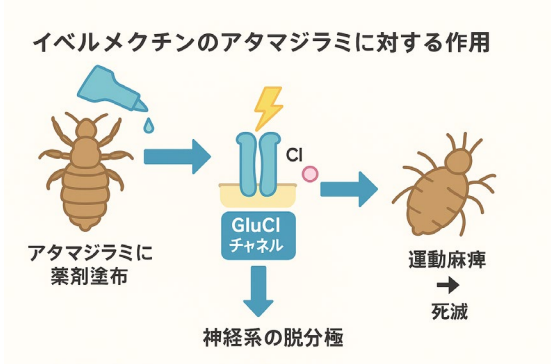


（出典）日本皮膚科学会
ひふの病気 アタマジラミ症

KAR：第Ⅲ相試験結果

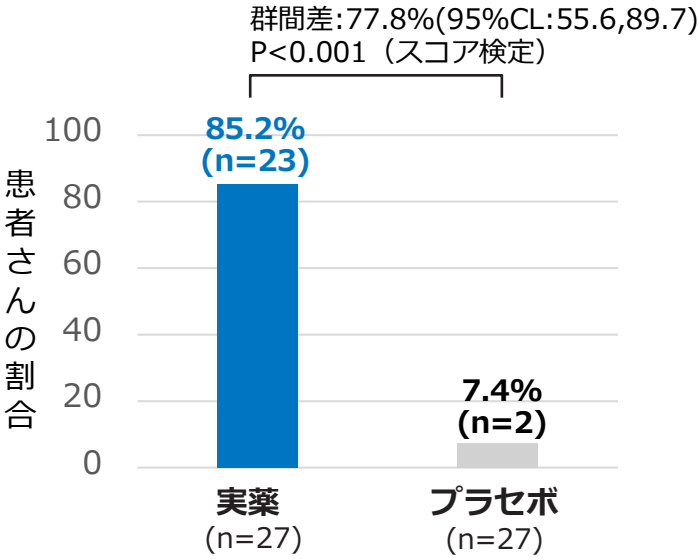
試験概要

対 象：既存治療で効果不十分なアタマジラミ症患者
治 験 デ ザ イ ン：多施設共同、無作為化比較、二重盲検、プラセボ対照
被 験 者 数：指標被験者 54名（目標被験者数 66名）、全被験者 117名
介 入 の 内 容：KAR 0.5% または KAR 0%を規定量、塗布する
主 要 評 価 項 目：指標被験者の治療成功割合（塗布後3週間、生きているアタマジラミが認められない）



試験結果

有効性



安全性

項目	二重盲検期		非盲検期	
	KAR 0.5% 56名	KAR 0% 61名	実薬→実薬 7名	プラセボ→実薬 55名
有害事象の発現被験者数 n (%)	10 (17.9%)	8 (13.1%)	0	6 (10.9%)
重症度 n (%)				
軽度	10 (100%)	4 (50%)	0	6 (10.9%)
中等度	0	4 (50%)	0	0
重症	0	0	0	0
重篤な有害事象の発現被験者数 n (%)	0	0	0	0
副作用の発現被験者 n (%)	4 (7.1%)	1 (1.6%)	0	0

イベルメクチンが選択的にアタマジラミに効く理由

- 寄生虫には強く、ヒトには弱く結合する**選択毒性**を持つ
- ・ヒトにはGluClチャンネルが存在しない
 - ・哺乳類のGABA受容体には低親和性
 - ・血液脳関門で薬剤が中枢に入らない

6

希少疾病への取り組み

1st X 研究開発 Transformation

VISION

重点創薬3領域を中心に世界に通ずる
画期的新薬を継続的に上市

施策

パイプラインの拡充

- 導入の拡大
- 開発早期における外部活用アプローチ
- 積極的な適応拡大・リポジショニング

新規診療領域への展開

✓ 将来のアンメットメディカルニーズを
捉えて新たに強みとなる診療領域に展
開する

強みとする診療領域

整形外科
アルツ
ヘルニコア

皮膚科
クレナフィン
エクロック
フィブラスト

その他
セプラフィルム
リグロス



新規診療領域

- 10年先にもアンメットニーズが残る疾患
- **希少疾患**

- ▶ ドラッグロス、ドラッグラグを解消し、難病で苦しむ日本の患者さんに貢献
- ▶ 医薬品の安定供給のため、大型自社創薬品上市前までの収益を確実なものにする

KP-001：難治性脈管奇形

適応症

難治性脈管奇形

脈管奇形の内、複数の疾患は**小児慢性特定疾患、指定難病**

病態

- ▶ 小児期で起こる脈管の異常構造が**醜状、出血、痛み、感染**などを引き起こす
- ▶ 発症部位によっては**致命的**になり得る

治療

外科的切除や**硬化療法**が第一選択

出血や発症部位によっては**外科的切除**は困難

シロリムスが2021年9月に**難治性リンパ管疾患**で承認取得

国内外患者数

静脈奇形 (VM)

リンパ管奇形 (LM)

クリッペル・トレノネー症候群 (KTS)

PIK3CA-related overgrowth spectrum (PROS)

日本

約20,000人^{*1}

約10,000人^{*1}

約3,000人^{*1}

—

米国 (人口3.3億人)

33,000~66,000人^{*2}

20,000~55,000人^{*3}

3,000~17,000人^{*4}

4,760人^{*5}

^{*1}：厚労科研三村班疫学調査2014

^{*2}：Behraves S, et al., *Cardiovasc Diagn Ther.*, 2016 Dec; 6(6): 557-569.

^{*3}：Churchill P, et al., *J. Pediatric Surgery.*, 46(5), 912-922, 2011.; Acevedo, J.L, et al., *Otolaryngol Head Neck Surg.*, 2008; 138: 418-424.

^{*4}：Lorda-Sanchez I, et al., *Ann Hum Genet.*, 1998; 62(Pt 3): 235-239.

^{*5}：Orphanet

リンパ管奇形



KTS



Luks et al. *J Pediatr.* Author manuscript; available in PMC 2016 April 01.

静脈奇形



JOHNS HOPKINS MEDICINE HP (静脈奇形 イラスト)

KP-001：国内第Ⅲ相試験（KP-001-301）検証的試験の結果

試験概要

目的	静脈奇形、リンパ管奇形、クリッペル・トレノネー症候群の患者にKP-001を1日1回24週間以上52週間まで投与したときの有効性を、MRI画像に基づく標的病変の奏効を指標に検証する。また、安全性及び薬物動態を検討する
試験デザイン	多施設共同、非対照、非盲検、単群比較試験
介入の内容	KP-001を1日1回朝食後に経口投与する
被験者数	実薬32名
主要評価項目	投与24週後以降の最終評価時点のMRI画像に基づく標的病変の奏効

試験結果(トップライン)

- ▶ 主要評価項目：24週以降の最終評価時点で、MRI標的病変体積20%以上減少の奏効率が事前設定を統計学的に上回った。
- ▶ 安全性：懸念となる副作用はみられず。また、特定の重篤な免疫関連有害事象の増加もみられなかった。

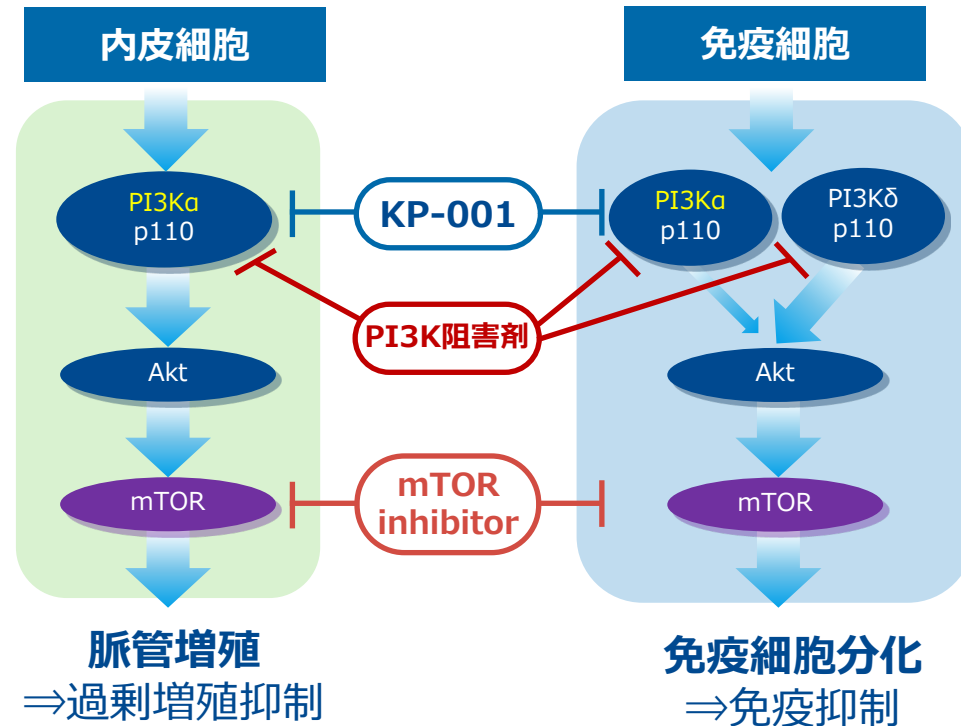
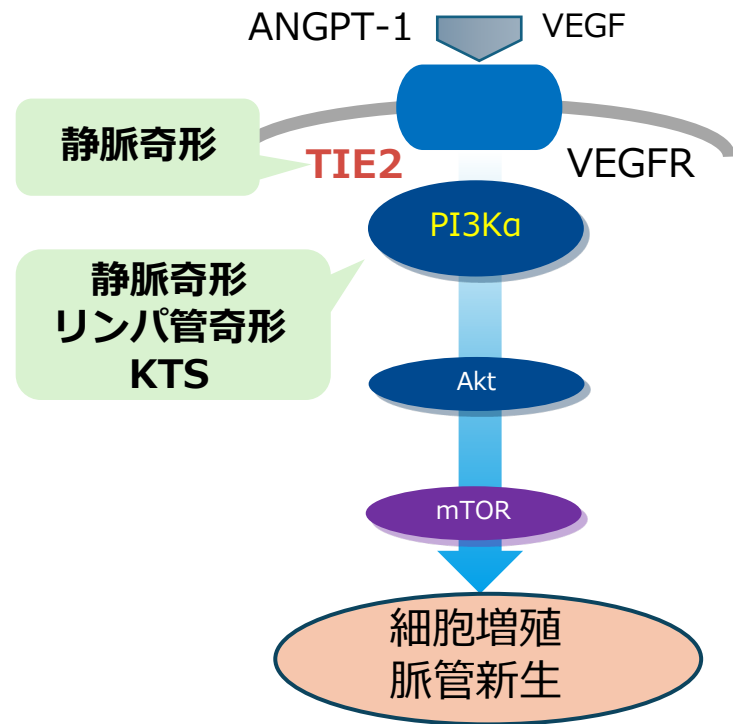
- ・病変の安定化 → 病変部位の縮小 + 症状コントロール → 生活の質維持／改善が治療目的
- ・病変の体積だけではなく、症状の改善やQOL、安全性、患者満足など多面的なアウトカムの評価
- ・小児と慢性化した成人など、その病変の成熟化（fibrotic residual）による有効性への影響

国内長期投与第Ⅲ相試験（jRCT）

52週以上の安全性・有効性を評価する長期投与試験を実施中

KP-001：作用機序

血管腫・血管奇形の原因となる経路の遺伝子変異およびKP-001の作用点
ホスファチジルイノシトール3-キナーゼα (PI3Kα)



mTORを阻害による免疫抑制
PI3Kδ阻害による免疫抑制
→間質性肺炎、感染症、口内炎、皮膚障害等

脈管奇形は小児期から生涯にわたる治療を必要とする疾患

- ▶ 経路上流のPI3Kαを選択的に抑制し、免疫抑制プロファイルが軽いことを期待
- ▶ 現時点では特定の重篤な免疫関連有害事象増加は示されず

(作図) 科研製薬

KC-8025：原発性胆汁性胆管炎治療薬

- ▶ 原発性胆汁性胆管炎（PBC） **指定難病**
- ▶ **中年以降の女性**に多い（男女比1：4）
- ▶ 多くは**無症候性**、健康診断でみつける。症候性に転ずると、**急速に病態が進行**
- ▶ **ビリルビン値の上昇**に伴い、**5年生存率**が低下
- ▶ 国内患者数：約**37,000人***¹
- ▶ 米国患者数：約**130,000人** Livdelzi売上：**25年Q3 \$ 105M***²

抗ミトコンドリア抗体
（診断に利用）



免疫細胞の活性化

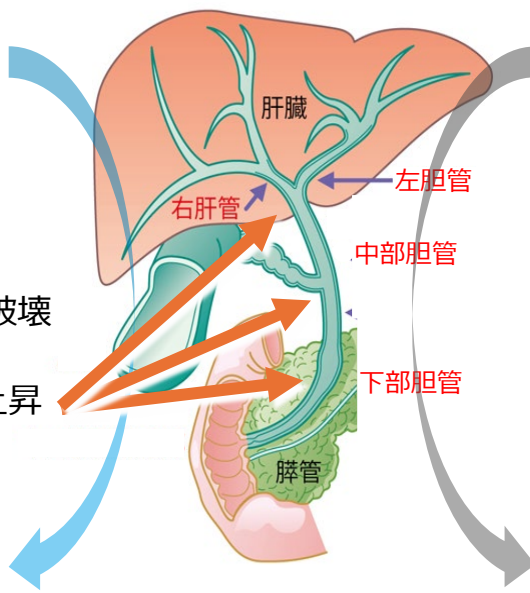
胆管の破壊

胆汁酸のうっ滞 → 肝細胞の破壊

ALP・γ-GTPやビリルビン値上昇

掻痒、全身倦怠感、黄疸等

肝硬変、肝がん



消化器外科学会HP 一部改変

KC-8025

免疫細胞の活性化抑制

胆管の破壊抑制

肝細胞の破壊抑制

ALP・γ-GTPやビリルビン値の低下

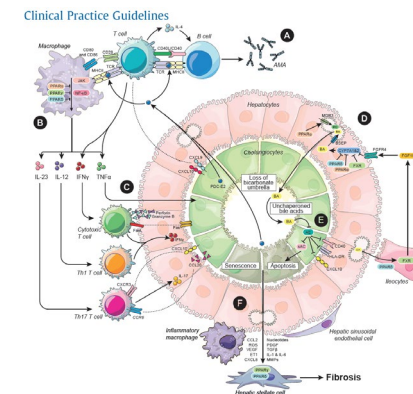
掻痒の改善、全身倦怠感の低減

肝硬変、肝がんへの移行抑制

ペルオキシソーム増殖因子
活性化受容体δ（PPARδ）作動薬

作用点

- A) NF-κB, JAKの活性化、慢性炎症
- B) 細胞障害性T細胞の活性化
- C) CYP7A1&2を介した胆汁酸の上昇
- D) 胆管上皮の老化・細胞死に伴う
液性因子の産生、線維化



Journal of Hepatology 2017 vol. 67 | 145-172

*1：難治性の肝・胆道疾患に関する研究
（厚生労働省難治性疾患政策研究事業）

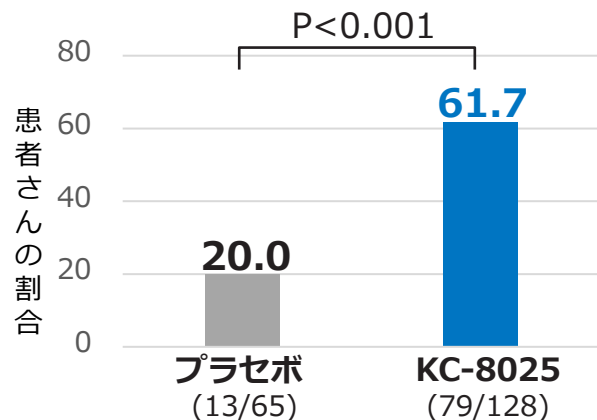
*2：Gilead社公表情報
https://s29.q4cdn.com/585078350/files/doc_financials/2025/q3/GILD-Q325-Earnings-Presentation-30-October-2025.pdf

KC-8025：国際共同第Ⅲ相試験

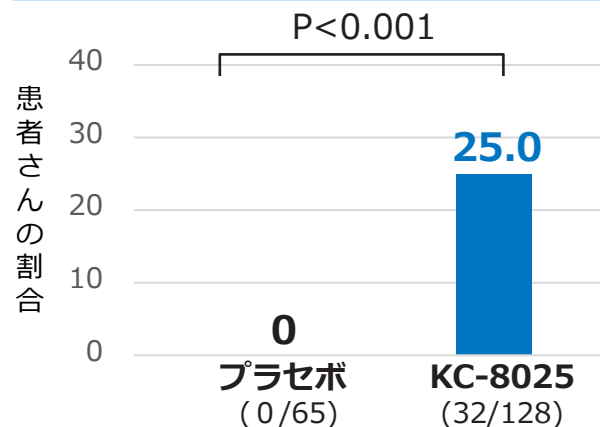
国際共同第Ⅲ相試験結果

2024年8月14日にFDAがSeladelpar(Livdelzi)を原発性胆汁性胆管炎の治療薬として迅速承認取得
-プラセボと比較して、ALP値の正常化、統計的に有意な掻痒スコアの減少を示した初の唯一の治療法-

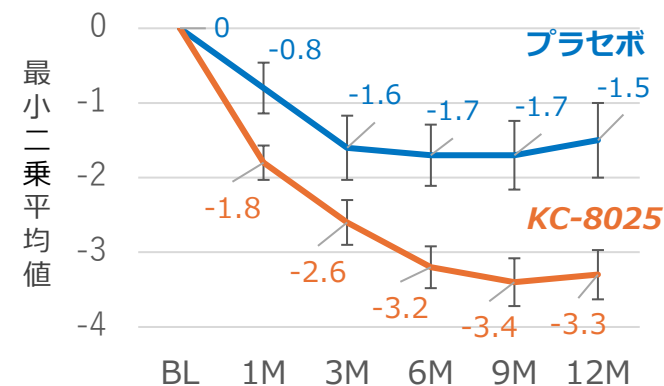
- ▶ ALPが基準値上限の1.67倍未満
- ▶ ALPが15%以上減少
- ▶ 総ビリルビンが基準値上限以下



▶ 投与12ヵ月後のALPの正常化率



▶ 投与6ヵ月後のそう痒スコアの変化量 (投与前NRSが4以上の患者群)



A Phase 3 Trial of Seladelpar in Primary Biliary Cholangitis. G.M. Hirschfield and Others. N Engl J Med 2024; 390: 783- 794

国内第Ⅲ相試験状況 2025年10月末に被験者登録完了

- 対 象 : DCA (ウルソデオキシコール酸) で効果不十分、または耐受性がない PBC 患者
- 試験デザイン : 非対照、非盲検、多施設共同試験
- 投 与 期 間 : 52週間
- 主要評価項目 : 複合評価
1. ALP (アルカリフォスファターゼ) が基準値上限 (ULN) の1.67倍未満
 2. ALPがベースラインから最低15%以上減少
 3. 総ビリルビンがULN以下



(出典) Gilead Sciences, Inc.
-news-details-August 14, 2024
[Gilead Sciences, Inc. - Gilead's Livdelzi \(Seladelpar\) Granted Accelerated Approval for Primary Biliary Cholangitis by U.S. FDA](#)

遺伝性血管性浮腫（HAE）：疾患概要とアンメットニーズ

HAEについて

- ▶ **指定難病**（原発性免疫不全症候群）、国内推定**2,500人**（5万人に1人） HAE-info（一般社団法人 遺伝性血管性浮腫診断コンソーシアム）
- ▶ 多くは**補体C1インヒビター**の遺伝子異常で、**血中C1インヒビター**の欠損・機能低下を生じる
- ▶ 皮膚、消化管、気道などに**反復性の浮腫発作**を引き起こし、**命にかかわる**こともある
- ▶ 症状は通常**24時間で最大**となり、数日で消失

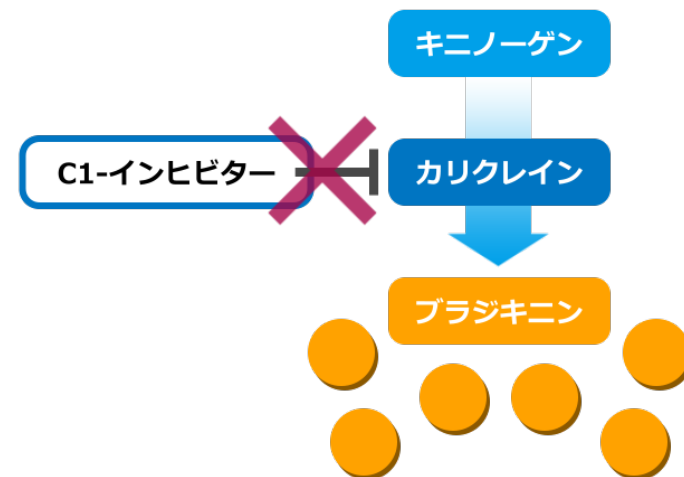
HAE治療のアンメットメディカルニーズ

- ▶ オンデマンド治療薬は**注射剤のみ**
- ▶ 予防薬は**注射部位疼痛や投与頻度の多さ**
- ▶ 発作の**早期予測・モニタリング技術**の不足
- ▶ **QOLへの影響**（発作の不安、社会・職業生活への制限）

HAE治療

- ▶ **発作時治療（オンデマンド）**
C1インヒビター製剤、カリクレイン阻害薬（ecallantide等）、ブラジキニン受容体拮抗薬（icatibant）
- ▶ **発作予防**
C1インヒビター補充療法、カリクレイン阻害薬（lanadelumab、berotralstat など）

遺伝性血管性浮腫（Hereditary angioedema : HAE） 診療ガイドライン 改訂 2023 年版



（作図）科研製薬

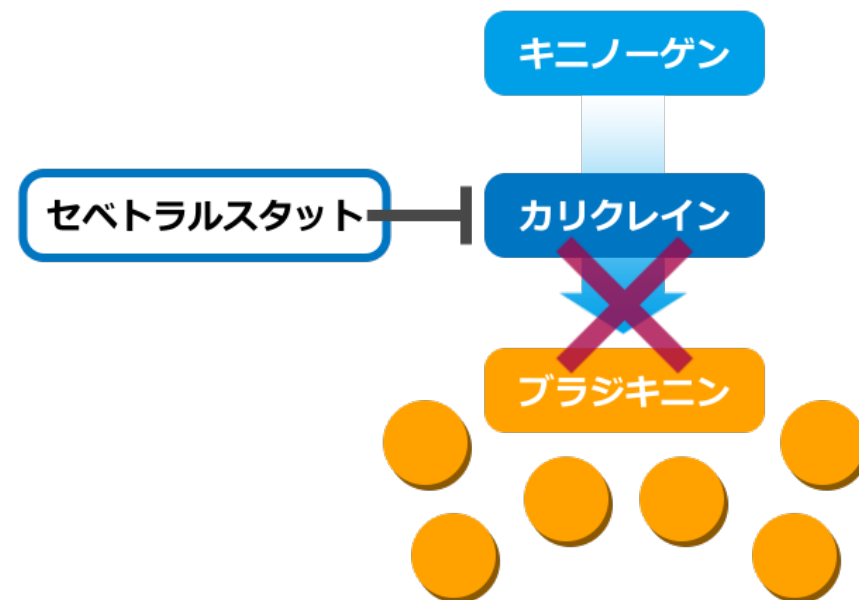
セベトラルスタット：世界初経口HAEオンデマンド治療薬

作用機序 (Mechanism of Action)

- ▶ 血漿カリクレインを選択的に阻害する経口薬
- ▶ 血漿カリクレインの活性化を抑制することで、ブラジキニンの過剰生成を防ぎ、HAE発作の原因となる血管透過性の亢進を抑制
- ▶ 注射剤に代わる経口オンデマンド治療として、患者の利便性向上が期待される

第Ⅲ相試験：KONFIDENT 試験概要

目的	HAE発作に対する初の経口オンデマンド治療薬としての有効性・安全性を評価
試験デザイン	無作為化・二重盲検・クロスオーバー試験
介入の内容	各被験者が300mg、600mg、プラセボをそれぞれの発作時に単回服用
被験者数	12歳以上のHAE患者136名
主要評価項目	症状緩和までの時間（PGI-C）
副次評価項目	発作の重症度、寛解時間、安全性
対象発作	喉頭発作や予防中のブレイクスルー発作も含む全HAE発作



(作図) 科研製薬

セベトラルスタット：第Ⅲ相試験結果（KONFIDENT試験）



有効性

▶ 主要評価項目（症状緩和までの時間）

300mg：中央値1.61時間（95% CI: 1.28-2.27）

600mg：中央値1.79時間（95% CI: 1.33-2.27）

プラセボ：中央値6.72時間（95% CI: 2.33->12）

▶ 副次評価項目

プラセボと比較して発作重症度軽減までの時間が有意に短縮

プラセボと比較して完全な発作消失までの時間が有意に短縮

安全性

▶ 有害事象による中止・重篤な治療関連有害事象なし

▶ 副作用発現率：300mg（2.3%）、600mg（2.2%）、プラセボ（4.8%）

KalVista Pharmaceuticals, Inc.Hpより抜粋

ポテンシャル（Potential）

- ▶ 世界初の経口オンデマンド治療薬として、**早期治療を可能**とし、**患者のQOL向上と治療アクセスの改善**が期待される
- ▶ 迅速な症状緩和により、**発作時の不安軽減**にも寄与
- ▶ 米国FDAおよび欧州医薬品庁（EMA）から**希少疾病用医薬品**の指定を受け、2025年7月に**米国承認取得、英国・EU・スイス・シンガポール・オーストラリアでも承認取得**
- ▶ 本邦においても希少疾病用医薬品に指定。**2025年1月に製造販売承認申請**

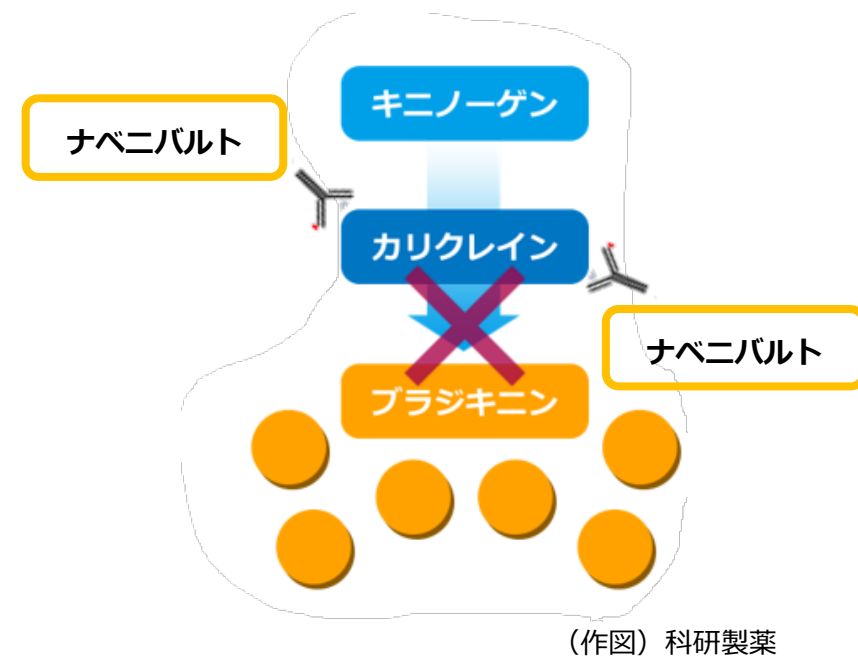
ナベニバルト：HAE予防薬 第Ⅰ/Ⅱ相（ALPHA-STAR）試験結果

作用機序（Mechanism of Action）

- ▶ 抗血漿カリクレインモノクローナル抗体（ヒト化IgG1モノクローナル抗体）
- ▶ FcドメインのYTE変異 → 半減期延長
- ▶ アロステリック阻害 → 血漿カリクレインの高い阻害効果

第Ⅰ/Ⅱ相(ALPHA-STAR)試験の概要

目的	安全性、忍容性、臨床効果、薬物動態、薬力学、および免疫原性を評価する
試験デザイン	多施設オープンラベル試験
介入の内容	ナベニバルトを単回または複数回皮下投与
被験者数	18歳以上のHAE患者29名
主要評価項目	平均月間発作頻度の減少率
対象発作	HAEタイプⅠまたはⅡ（観察期間中に2回以上の発作を経験）



ナベニバルト：HAE予防薬 第Ⅰ/Ⅱ相(ALPHA-STAR)試験結果

有効性

6カ月平均

コホート1

(450mg単回投与、n=4)

月間発作頻度の減少率 : 91%減少
中等度・重度発作の減少率 : 96%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度 : 94%減少
発作ゼロの患者の割合 : 3カ月 50%, 6カ月 25%

コホート2

(600mg→3カ月後に300mg、n=6)

月間発作頻度の減少率 : 95%減少
中等度・重度発作の減少率 : 95%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度 : 94%減少
発作ゼロの患者の割合 : 6カ月 67%

コホート3

(600mg→1カ月後に600mg、n=6)

月間発作頻度の減少率 : 92%減少
中等度・重度発作の減少率 : 96%減少
急性期レスキュー薬の使用頻度 : 91%減少
発作ゼロの患者の割合 : 6カ月 67%

安全性

- ▶ 重篤な治験に関連する有害事象なし
- ▶ 重篤でない治療に関連した有害事象は4件、めまい、一過性の注射部位反応（発疹）、注射部位紅斑、注射部位そう痒

ポテンシャル (Potential)

- ▶ 注射部位疼痛が少ない
- ▶ 投与間隔が3～6ヶ月、投与頻度が少ない



その他の導入開発品

ESK-001:乾癬治療における革新的TYK2阻害剤

開発企業 : Alumis Inc. (米国)

作用機序 : TYK2 (チロシンキナーゼ2) を高選択的に阻害

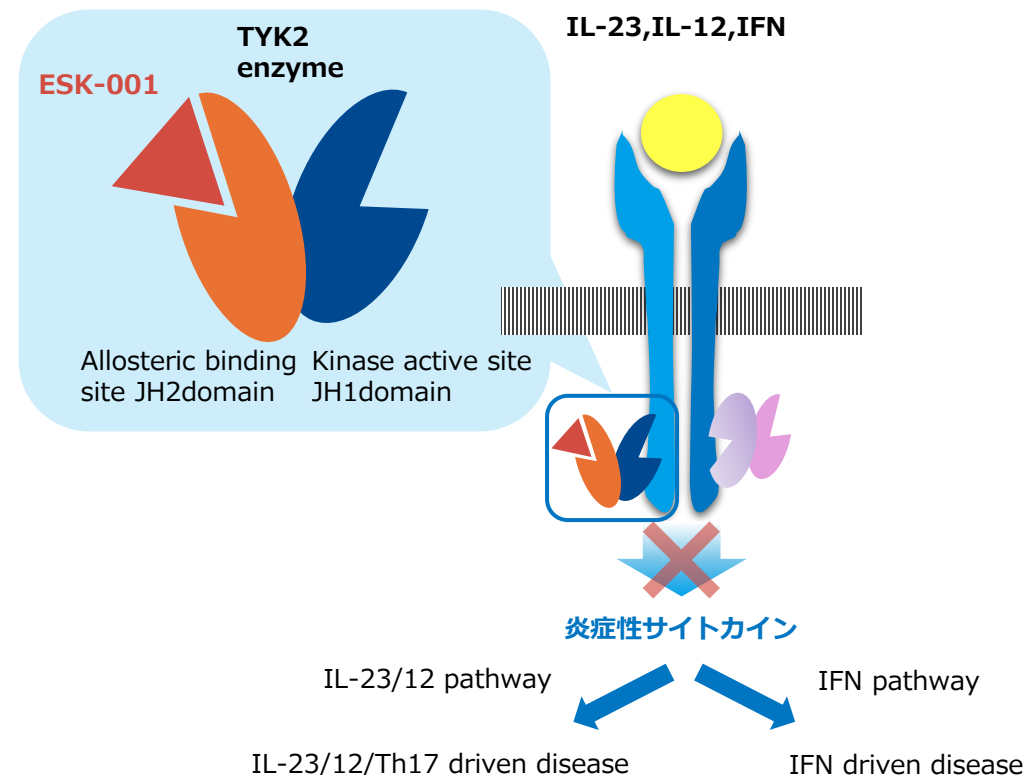
投与形態 : 経口投与 (1日2回、改良型1日1回製剤も開発中)

開発状況

- ▶ 中等度～重度の尋常性乾癬 (第Ⅲ相試験)
日本では20以上の実施医療機関が含まれる
- ▶ 全身性エリテマトーデス (SLE) (後期第Ⅱ相試験)

ESK-001は選択性の高い経口アロステリックなTYK2阻害剤

- ▶ ESK-001は**TYK2**に対して強力かつ本質的に**選択的な阻害剤**
- ▶ ESK-001はTYK2を**アロステリックに阻害**し、
40mg1日2回投与で、**24時間以上**にわたって**最大標的抑制**を維持し、JAK1/2/3を阻害する濃度には到達しない



European Academy of Dermatology & Venereology Congress, September 25-28, 2024, P1004

ESK-001：乾癬治療における革新的TYK2阻害剤

作用機序 (Mechanism of Action)

- ▶ TYK2 (Tyrosine Kinase 2) に対し本質的な選択性を持つ経口阻害剤
- ▶ TYK2はIL-23、IL-12、Type I IFNなど自己免疫疾患に関与するサイトカインのシグナル伝達に関与

第Ⅱ相試験 (尋常性乾癬患者対象)

対 象 : 中等度～重度の尋常性乾癬患者
投 与 : ESK-001を1日2回経口投与 (複数用量)
主 要 評 価 項 目 : 12週時点でPASI-75到達率が用量依存的に上昇
最大用量群でPASI-75到達率70%以上
奏効率は12週目から24週目にかけて増加し、52週間のOLE試験でPASI奏効率の持続性が観察
OLE試験でPASI-100達成率が39%
有 害 事 象 : 発作軽度～中等度であり、忍容性良好

ポテンシャル (Potential)

- ▶ 高い選択性と有効性
- ▶ 良好な安全性プロファイル
- ▶ 尋常性乾癬に対する第3相試験が進行中であり、**乾癬以外の複数の自己免疫疾患に展開可能**



市場規模・タイムライン

市場規模 — 希少疾患 —

疾患	地域	推定患者数	市場規模
脈管奇形	日本	静脈奇形：20,000人 ^{*1} リンパ管奇形：10,000人 ^{*1} KTS：3,000人 ^{*1}	435億円 (290M\$) ^{*7}
	米国	静脈奇形：33,000～66,000人 ^{*2} リンパ管奇形：20,600～55,000人 ^{*3} KTS：3,300～17,000人 ^{*4} (米国人口3.3億人として算出)	1,800億円 (1,200M\$) ^{*7}
遺伝性血管性浮腫 (HAE)	日本	2,500人 ^{*5}	192億円 (128M\$) ^{*8}
原発性胆汁性胆管炎 (PBC)	日本	PBC：37,000人 ^{*6} UDCA不応（PCBの30%）：11,100人 ^{*6}	225億円 (150M\$) ^{*9}

(1ドル=150円換算)

*1：厚生科研三村班疫学調査2014

*2：Behraves S, et al., *Cardiovasc Diagn Ther.*, 2016 Dec; 6(6): 557-569.

*3：Churchill P, et al., *J. Pediatric Surgery.*, 46(5), 912-922, 2011.; Acevedo, J.L, et al., *Otolaryngol Head Neck Surg.*, 2008; 138: 418-424.

*4：Lorda-Sanchez I, et al., *Ann Hum Genet.*, 1998; 62(Pt 3): 235-239.

*5：HAE-info（一般社団法人 遺伝血管性浮腫診断コンソーシアム）

*6：難治性の肝・胆道疾患に関する研究（厚生労働省難治性疾患政策研究事業）

*7：Healthcare Services, Arteriovenous Malformations Market Forecast Reaching \$4.1 Billion by 2029 at 7.2% CAGR.
Vascular Malformations Drugs 2025-2033 Trends and Competitor Dynamics: Unlocking Growth Opportunities

*8：Global Hereditary Angioedema Therapeutics Market Size & Outlook, 2030.

*9：Primary Biliary Cholangitis Market Report 2030, STRATEGIC MARKET RESEARCH.

Challenges to Overcome in Primary Biliary Cholangitis Industry Market Growth: Analysis 2025-2033.

市場規模

疾患	地域	推定患者数	市場規模
乾癬	日本	乾癬：43万人 ^{*10} 尋常性乾癬（乾癬の90%）：38.7万人 ^{*11}	766.5億円 (511M\$) ^{*17}
アタマジラミ症	日本	アタマジラミ症：171万人 (発生世帯数83万世帯 ^{*12} ×平均世帯人員2.06人 ^{*13}) 既存治療で効果不十分：11.5万人 (171万人×抵抗性アタマジラミ感染割合6.7% ^{*14})	—
全身性エリテマトーデス (SLE)	日本	約6～10万人 ^{*15} SLEとして難病申請：約 6.5万人 ^{*15}	190.5億円 (127M\$) ^{*17}
アトピー性皮膚炎	日本	160.9万人 ^{*16}	993億円 (662M\$) ^{*17}
喘息	日本	185.7万人 ^{*16}	979.5億円 (653M\$) ^{*17}

(1ドル＝150円換算)

*10 : Kubota K, et al. *BMJ Open.*, 2015; 5(1): e006450.

*11 : Kamiya K, et al, *J Dermatol.*, 2023; 50(1): 12-15.

*12 : Naomi S, et al., *Med. Entomol. Zool.*, 60(3), 225-231, 2009.

*13 : 総務省「住民基本台帳に基づく人口、人口動態及び世帯数（令和7年1月1日現在）」

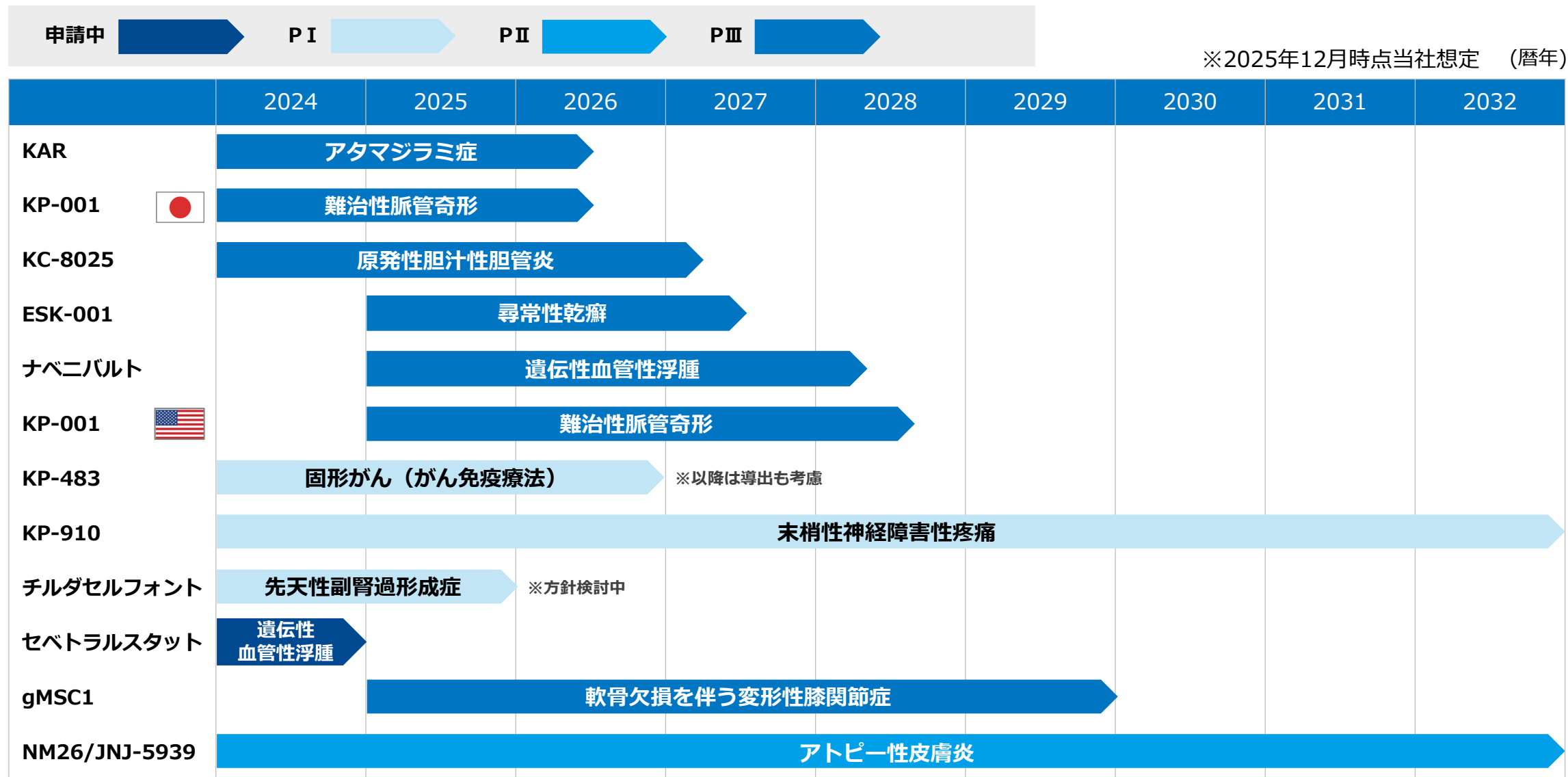
*14 : Shinji K, et al., *J. Med. Entomol.*, 46(1), 2009: 77-82.

*15 : 難病情報センターウェブサイト、全身性エリテマトーデス（SLE）（指定難病49）

*16 : 厚生労働省 令和5年患者調査

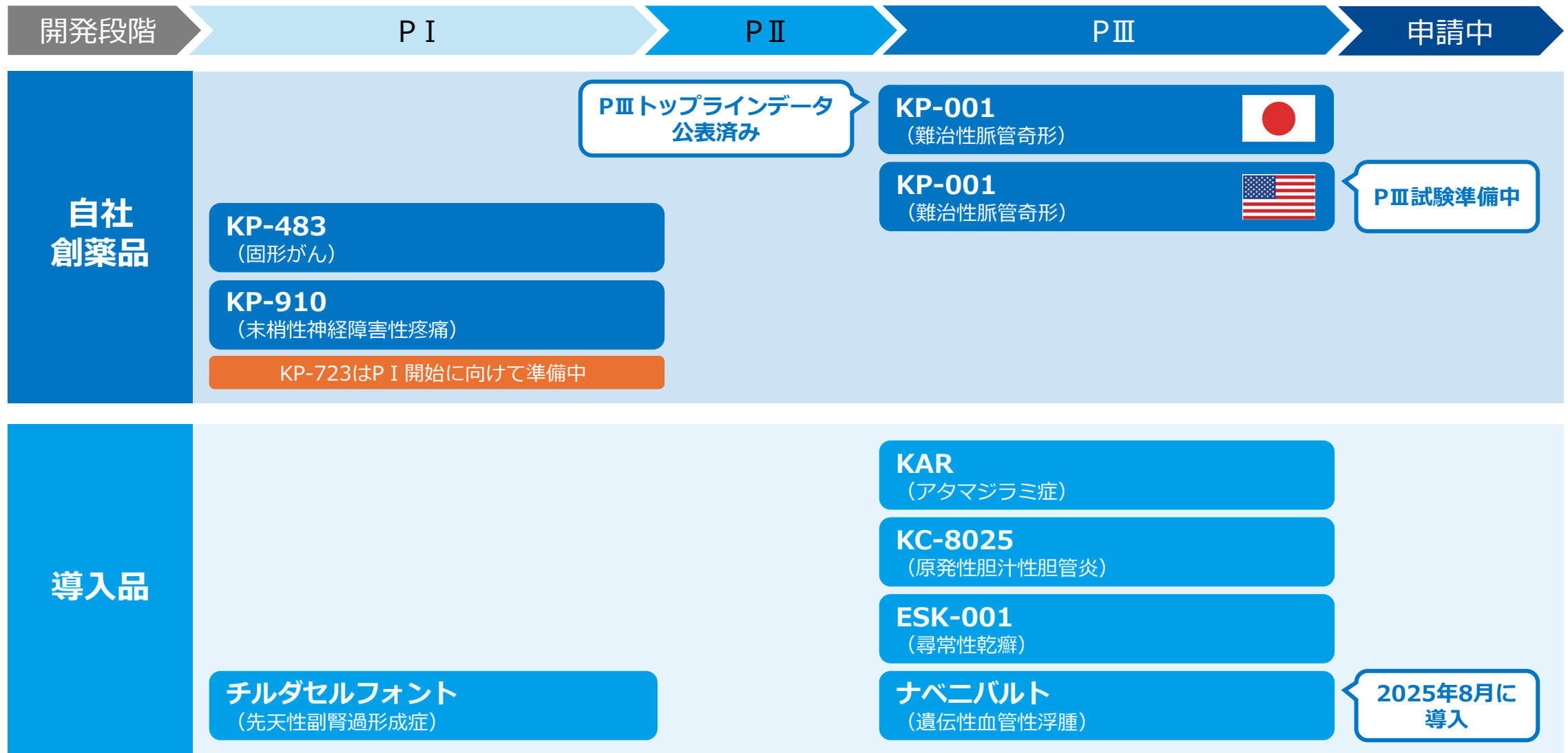
*17 : ©DRG [2021] DR/Decision Resources, LLC. All rights reserved. Reproduction, distribution, transmission or publication is prohibited. Reprinted with permission.

パイプライン進捗予測（タイムライン）

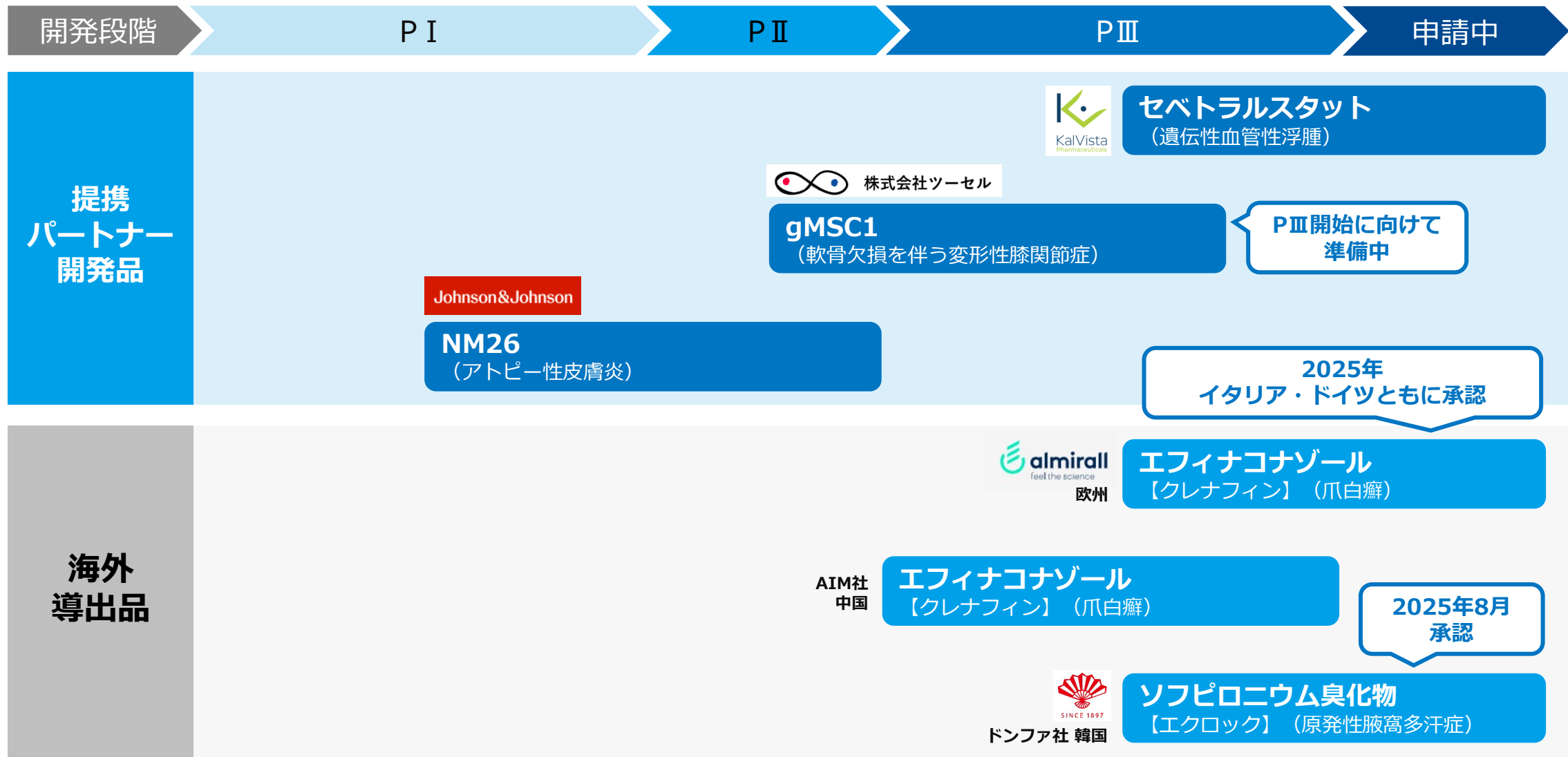


Appendix

パイプラインの状況（自社創薬・導入）



パイプラインの状況（その他の開発状況）



パイプライン進捗予測 ―今後のイベント情報開示予定―

※2025年12月時点当社想定

開発品	適応症	2025		2026		2027	
		上期	下期	上期	下期	上期	下期
KAR	アタマジラム症		PⅢ トップライン データ公表				
KP-001	難治性脈管奇形		PⅢ トップライン データ公表				
KC-8025	原発性胆汁性胆管炎						
ESK-001	尋常性乾癬		PⅢ トップライン データ公表 （尋常性乾癬）	PⅡbトップライン データ公表 （SLE）			
ナベニバルト	遺伝性血管性浮腫			※以降は導出も考慮	PⅢ トップライン データ公表		
KP-483	固形がん（がん免疫療法）		PⅠ終了（予定）				
KP-910	末梢性神経障害性疼痛		PⅠ終了		※次相に向けてデータ解析中		
チルダセルフォント	先天性副腎過形成症		PⅠ終了	※方針検討中			
KP-001	難治性脈管奇形	PⅢ実施に向けて FDAに相談中	※PⅢに向けて準備中				
KP-723	2型炎症性疾患	2025年度 PⅠ開始に向けて準備中					

その他の開発状況 ―今後のイベント情報開示予定―

※2025年12月時点当社想定

開発品	適応症	2025		2026		2027	
		上期	下期	上期	下期	上期	下期
セベトラルスタット	遺伝性血管性浮腫		製造販売承認取得				
gMSC1	軟骨欠損を伴う 変形性膝関節症		PⅢ実施に向けた 準備中				
NM26	アトピー性皮膚炎			PⅡ終了（予定）			

海外導出品の状況 ―今後のイベント情報開示予定―

一般名	適応症	導出先	2025		2026		2027	
			上期	下期	上期	下期	上期	下期
エフィナコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	アルミラル （ドイツ）	製造販売承認取得					
エフィナコナゾール （クレナフィン）	爪白癬	AIM （中国）	※現在、PⅢ試験実施中。詳細な終了時期は非開示					
ソフピロニウム臭化物 （エクロック）	原発性腋窩 多汗症	ドンファ （韓国）	製造販売承認取得					

gMSC1 ツーセル社との共同開発開始

- ▶ ツーセル社が創製した同種（他家）滑膜間葉系幹細胞由来三次元人工組織
- ▶ 欠損した軟骨を修復するための細胞治療に用いる**再生医療等製品**として開発



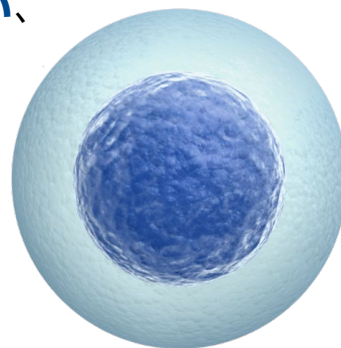
gMSC1のイメージ

Key Features

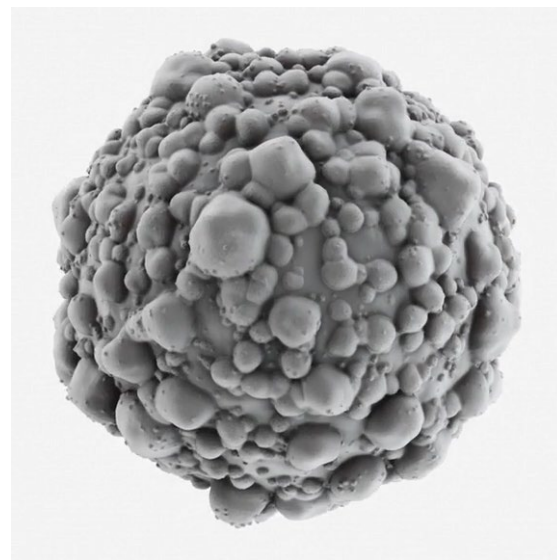
- ◆ 安定供給が期待できる他家細胞由来製品
 - ◆ 術時に扱い易く、簡便に処置が行える
 - ・ ツーセル社が「外傷性軟骨損傷および離断性骨軟骨炎」を対象としたP3試験を実施
 - ・ g MSCのポテンシャルは高いと判断
- ⇒ **「軟骨欠損を伴う変形性膝関節症」を対象としたPⅢ試験を行う計画**

血管周囲類上皮細胞腫瘍（Primary Perivascular Epithelioid Cell Tumor : PEComa）

- ▶ 進行性悪性 PEComa は、**軟部組織肉腫**として知られる特定の種類の癌
- ▶ PEComa の「PEC」は、腫瘍を構成する細胞の種類である**血管周囲上皮様細胞**を指す。
肉腫は、**脂肪、血管、筋肉、神経**などの骨や軟部組織に形成されるまれな種類の癌
- ▶ 悪性 PEComa は非常に**悪性度が高く**、体の他の部分に広がる可能性がある腫瘍
- ▶ 悪性 PEComa が初期段階で発見された場合、**手術で除去できる**場合がある
- ▶ 局所進行性または転移性悪性 PEComa とは、**手術で除去できない**、
または体の他の部分に広がった（転移した）PEComa



正常細胞

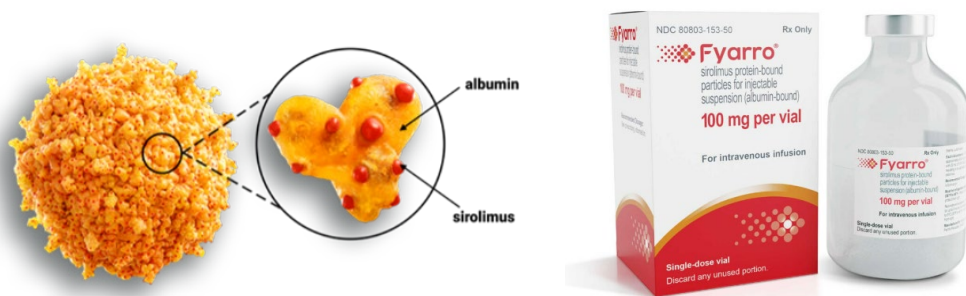


PEComa細胞

（出典）FYARRO® web page <https://www.fyarro.com/>

2021年11月にFDA承認 2022年2月に米国にて販売開始

- ▶ 体表面積1m²あたり100mgを静脈内注射。3週間を1クールとして、1日目と8日目に投与
- ▶ 有効成分であるシロリムスはmTOR（mammalian Target Of Rapamycin）阻害剤で、過剰な細胞増殖に関わる遺伝子の働きを阻害
- ▶ FYARROはナノ粒子技術を使用し、腫瘍内により多くのシロリムスを取り込ませてmTORの抑制作用を増強
- ▶ 米国PEComa患者のシェアは8割以上で、安定したシェアが見込まれる



(出典) FYARRO® web page <https://www.fyarro.com/>

米国での疫学データと
FYARRO®の使用状況

肉腫診断

13,204 患者 (100%)

PEComa

~304 患者 (2.3%)

局所進行性または転移性
~245 患者 (81%)

Receiving 1st Line
~182 患者 (74%)

Receiving 2nd Line
~21 患者 (9%)

Eligible
3rd or over Line

FYARRO®の患者シェアは既に8割以上

(出典) FYARRO® tracking Pulse- Wave 6 (March 2024)

PEComaの原因となる経路の遺伝子変異およびFYARROの作用

PEComaの原因

PEComaは**TSC1またはTSC2遺伝子の変異**を伴うことが多く、これによりmTORシグナルが過剰に活性化され、腫瘍の増殖や血管新生が促進される

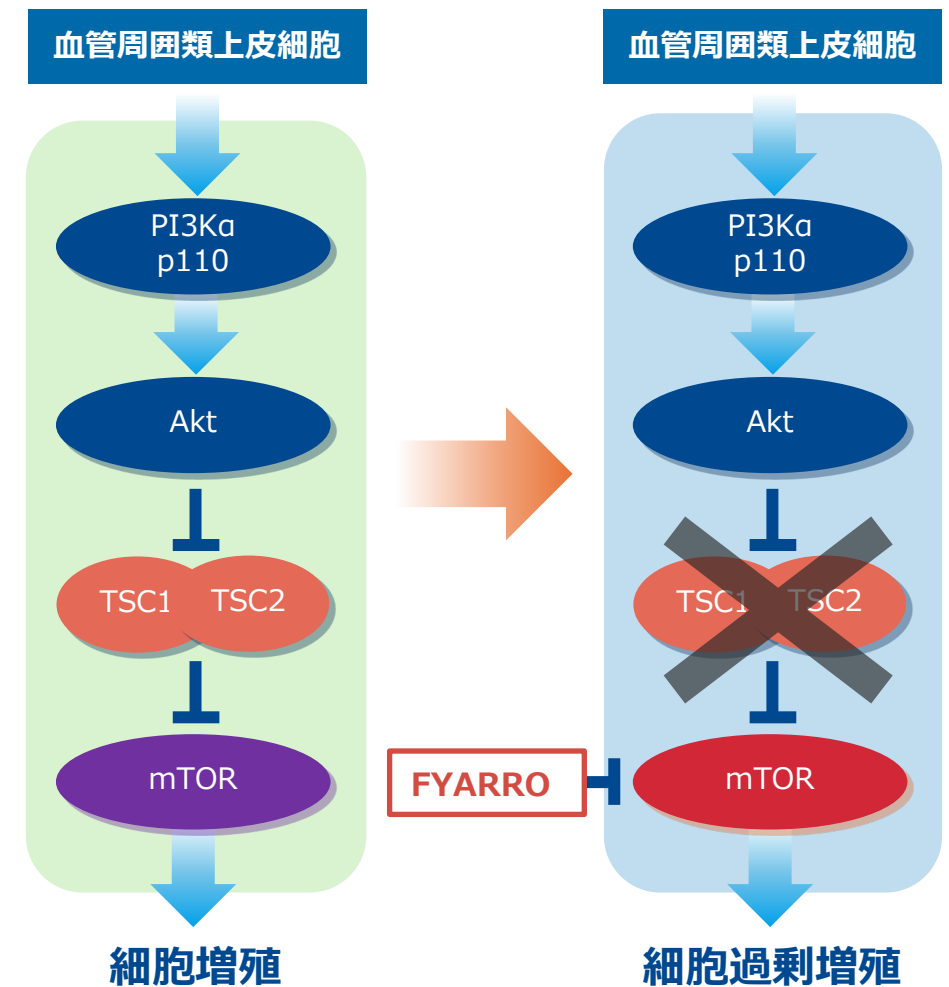
FYARRO®の作用

mTORを阻害することで、PEComaの**細胞増殖や血管新生を抑制し、腫瘍の進行を抑える**。特にTSC1/TSC2変異によるmTOR活性化が関与するPEComaにおいて有効

KP-001とのシナジー

FYARROの作用点のmTORは、KP-001の作用点であるPI3Kαの下流遺伝子である。

血管周囲類上皮細胞腫が希少疾患であることから、FYARROの販売網・マーケティング戦略がKP-001の米国展開に活用できる



(作図) 科研製薬

「あなたに笑顔」 科研製薬の願いです

科研製薬は、一人でも多くの方に笑顔を取りもどしていただくために、
優れた医薬品の提供を通じて、患者さんのクオリティ・オブ・ライフの向上に努めています。
そのために私たちは、規模の大きさではなく「最優」であることを常に目指しています。
患者さん・社会・社員の三者それぞれに「よろこび」を創出する企業でありたい。
そして、活力にあふれた科研製薬ならではの存在感を発揮し、
社会に貢献していきたいと考えています。



科研製薬株式会社