

iPS創薬事業と再生医療事業をハイブリッドで展開

投資判断 (12/5)

ケイファーマ (4896・東証グロース)

Overweight 継続

株価	投資単位	時価総額	年初来高値	年初来安値	PER(予)
640円 (12/5)	100株	74.3億円 (12/5)	1,420円 (25/3/26)	537円 (25/4/7)	— (12/5)

ALS治療薬候補「KP2011」開発の動きが活発化

■慶應大学が再生医療の臨床研究で安全性・有効性発表

2025年12月期第3四半期累計(1—9月)の連結業績は、売上高なし(前年同期はなし)で、研究開発費295百万円(同330百万円)を計上し営業損益は668百万円の赤字(同620百万円の赤字)だった。iPS創薬事業では、ALS(筋萎縮性側索硬化症)に関する開発パイプライン(新薬候補)についてアルフレッサファーマと第3相試験に向け準備中。ALS以外では、難聴疾患に関する学校法人北里研究所との共同研究契約を26年3月まで延長、企業治験の実施に向けてより具体的なデータの取得から、円滑な治験開始の準備を進めている。再生医療事業では、3月に共同研究先である慶應義塾大学医学部が「『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』の臨床研究について(経過観察の終了)」を発表、細胞移植後1年間の経過観察を終了し、4症例すべて安全性および有効性評価に含められたと報告された。この成果を踏まえ、同社は早期の事業化を目指す。

■アルフレッサと業務提携し流通部分強化

iPS創薬事業には、ALS、FTD(前頭側頭型認知症)、HD(ハンチントン病)など6本のパイプラインがある。中でも、ALS治療薬候補の「KP2011」はフェーズ1/2aの医師主導の治験を完了し、日本国内の権利をアルフレッサホールディングス(2784)傘下のアルフレッサファーマに導出した。その後、アルフレッサファーマは製剤特許による差別化、新薬としての薬価収載の可能性強化を目的に、第1/2a相試験で使用したロピニロール塩酸塩の徐放錠剤(レキップCR錠)から新製剤として徐放顆粒製剤を開発した。新製剤は今後、健常人に対して薬物動態や安全性の試験を行う。参加者の募集は終了している。

さらに、同社は11月、「KP2011」製品の流通部分を強化するため、アルフレッサホールディングス傘下のアルフレッサと業務提携した。それとともに、アルフレッサを割当先とした第三者割当による第1回~第3回無担保転換社債型新株予約権付社債(CB)を発行する。「KP2011」は今後実施される第3相臨床試験で有効な結果が出れば、数年後には製品として上市される可能性がある。商品としての形(徐放顆粒製剤)、流通面の整備を進めていることで、上市が具体的になってきたことが感じられる。なお、「KP2011」の導出は現段階で日本のみ。世界ではバイオ展示会などに出演した上で、米国、カナダ、欧州、中国、インドへの展開に向け、複数の製薬会社と提携交渉を行って



いる。

一方、かつて中枢神経の再生医療は不可能とされていたが、同社の創業者である岡野栄之取締役CSO(最高戦略責任者)がヒト脳内の神経幹細胞の存在を示し、神経再生の可能性を見いだした。それを基に同社は再生医療事業で5本のパイプラインを持つ。3月には共同研究先である慶應義塾大学医学部が他家iPS細胞由来神経前駆細胞を用いた臨床研究について、安全性及び有効性が示唆されたとの結果を発表した。現状で脊髄損傷の治療薬はなく、同社の研究は世界的な注目を集めている。再生医療事業で亜急性期脊髄損傷の治療を目指す「KP8011」については、今後、治験、当局の承認を経て、上市を目指していく。開発が順調に進めば、30年代の前半にも新薬の発売が見込めそうだ。

「KP2011」「KP8011」のほか、HD治療薬候補の「KP2032」に関しては、今後、CRO(医薬品開発業務受託機関)、CDMO(医薬品開発製造受託機関)の選定から、PMDA(独立行政法人医薬品医療機器総合機構)への事前相談準備など、企業治験に向けた準備を進める。提携先の探索・交渉にも取り組む。

11月には東京慈恵会医科大学と、「新規神経変性疾患治療薬の作用機序解析に関する研究」をテーマとした共同研究契約を締結した。同研究はALSなど難治性神経変性疾患を対象に、ロピニロール塩酸塩及び新規治療薬候補化合物群について、分子レベルでの作用機序を検証し、今後の臨床応用に必要な科学的根拠を体系的に解明・蓄積することを目的とする。これらの研究が将来的に、新たな開発パイプラインの開拓や新規適応症の獲得、協業機会の拡大につ

業績動向 (12/5時点)

		売上高 (百万円)	前年比 (%)	営業利益 (百万円)	前年比 (%)	経常利益 (百万円)	前年比 (%)	純利益 (百万円)	前年比 (%)	EPS (円)
23年12月期	実績	1,000	—	366	—	344	—	260	—	25.4
24年12月期	実績	—	—	▲836	—	▲836	—	▲846	—	▲72.9
25年12月期	会社予想	—	—	▲1,123	—	▲1,122	—	▲1,136	—	▲98.0
WA予想	—	—	—	▲1,123	—	▲1,122	—	▲1,136	—	▲98.0
26年12月期	WA予想	1,000	—	400	—	400	—	350	—	30.2

※ 22年12月期から収益認識会計基準を適用

ながると期待される。

25年12月期の非連結業績は保守的にみて前期と同じく売上計上の予定ではなく、営業損益は1,123百万円の赤字（前期は836百万円の赤字）を見込んでいる。ただ、早期に「KP2011」の海外への導出、「KP8011」の導出の可能性がある点には留意したい。同社は23年10月17日に東証グロース市場に上場し、初値は875円（公開価格950円）だった。25年3月には慶應大学の発表を受けて株価は急伸し、同月26日には上場来高値1,420円を付けた。直近では600円台の動きが続くが、将来の成長期待を考慮して、公開価格、高値を参考に想定株価レンジ1000—1400円を据え置き、投資判断は「Overweight」継続とする。（梅村哲哉）

■会社概要

ケイファーマはiPS細胞を活用したiPS創薬事業と再生医療事業のハイブリッドで展開を行うバイオベンチャー。慶應義塾大学医学部などの大学や研究機関と連携して研究開発を進めている。かつて中枢神経の再生医療は不可能とされていたが、同社の創業者であり、取締役CSO（最高戦略責任者）の岡野栄之氏がヒト脳内の神経幹細胞の存在を示し、神経再生の可能性を見いだしたことが同社事業の根幹にある。ALS、脊髄損傷、脳梗塞など、有効な治療法が確立していない中枢神経疾患を重点領域としており、現在は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持つ。23年にはALS治療薬候補の「KP2011」について日本国内の権利をアルフレッサファーマに導出した。

■事業環境と展望

同社資料によると、ALSは日本（患者数1万人、市場規模250億円）だけでなく、北米（同3.3万人、同8,250億円）、欧州（同2.4万人、同1,200億円）、中国（同2万人、同1,000億円）、インド（同5.1万人、同2,550億円）と、世界的に患者数が多く、巨大な市場がある。同社製品の競合となりそうな三菱ケミカルグループ（4188）のALS治療薬（ラジカヴァ）が、発売後数年で約800億円も売り上げたことからも市場の大きさがうかがえる。同社は「KP2011」の特許を日本、欧州、インドで取得し、米国、中国でも特許を申請中であることから、治療薬を上市すれば巨大市場で大きな

リスク要因

医薬品や再生医療等製品の研究開発には多額の研究開発費用と長い年月がかかる。しかし、臨床試験で患者の募集が計画通りに進まないことや、有用な効果を確認できないことなどから、研究開発を延長したり中止することは稀ではない。また、新薬の製造・販売には各国別に厳格な審査に基づく承認を取得する必要があるため、有効性、安全性、品質などに

事業概要 | 2つの事業とリード開発パイプライン

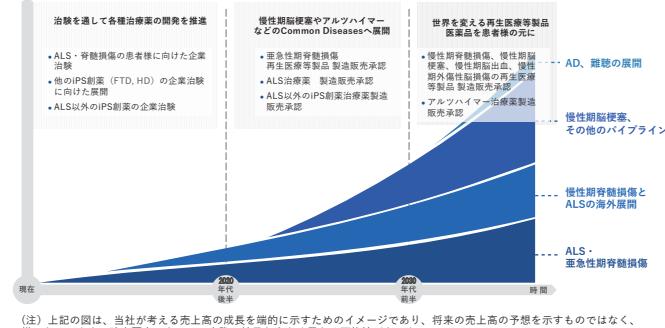
iPS創薬プラットフォームを活用したiPS創薬事業、iPS細胞由来の神経前駆細胞を移植する再生医療事業の両輪で業を展開。

リードするALS治療薬開発と亜急性期脊髄損傷を対象とする再生医療の臨床研究は、いずれもiPS細胞を活用した世界初の取り組みである。



出所：会社資料

成長戦略 | 成長イメージ



（注）上記の図は、当社が考える売上高の成長を端的に示すためのイメージであり、将来の売上高の予想を示すものではなく、様々なリスクや不確定要素によって、実際の結果と大きく異なる可能性があるもの

出所：会社資料

シェアを獲得できる公算が大きい。さらに、HD（北米）の患者数は3.3万人、市場規模は3,150億円、FTD（国内）の患者数は1.2万人、市場規模は300億円、亜急性期脊髄損傷の患者数は年間5,000人、市場規模は750億円などと推定されており、いずれも治療薬上市後の成長性は高い。

に関する十分なデータが得られず、上市を延期、または断念する可能性もある。こうした懸念に対し、同社はiPS創薬事業、再生医療事業の各事業で複数のパイプラインを持ち、適切な費用配分による管理を行っているほか、外部の研究機関や大学と連携し継続的に新規の経営資源を獲得することで対処している。

株主還元（12/5時点）

■配当の状況

		1株当たり配当金		
		中間期末	期末	年間
23年12月期	実績	0円	0円	0円
24年12月期	実績	0円	0円	0円
25年12月期	会社予想	0円	0円	0円

■株主優待

なし

競合他社比較 (赤字は競合他社に比べ優位な数値) (12/5)

		ケイファーマ (4896・東証グロース)	サンバイオ (4592・東証グロース)	クオリップス (4894・東証グロース)
基本事項	株価	640円	1,745円	6,090円
	投資単位	100株	100株	100株
	最低投資金額	64,000円	174,500円	609,000円
	決算月	12月	1月	3月
株価指標	PER(予)	—	—	—
	PBR(実)	3.3倍	79.6倍	8.9倍
	配当利回り(予)	—	—	—
	売上高成長率(予)	—	—	237.1%
成長性	営業利益成長率(予)	—	—	—
	EPS成長率(予)	—	—	—
	売上高営業利益率(予)	—	—	—
	自己資本当期純利益率(実)	—	—	—
収益性	総資産経常利益率(実)	—	—	—
	自己資本比率(実)	96.0%	45.1%	96.1%
	デット・エクイティ・レシオ(実)	—	25.5%	—
	流動比率(実)	3727.0%	455.7%	2895.5%

比較対象として、バイオベンチャーであるサンバイオ（4592）、クオリップス（4894）を挙げた。

■成長性

会社計画の25年12月期連結業績予想は、売上高はなし（前期はなし）、営業損益は1,123百万円の赤字（同836百万円の黒字）を見込んでいる。23年12月期はALS治療薬候補「KP2011」の導出があり、契約一時金を計上したため売上高が立ち、黒字となつたが、前期はそれがなく、今期も契約一時金などを想定していない。

「KP2011」について導出は現段階において日本国内の権利のみのため、欧米や中国、インドなど、今期以降、近い将来に海外への導出が期待される。継続的に複数の製薬会社と交渉していることから、早期の契約一時金の売上計上もある。さらに、再生医療事業では亜急性期の脊髄損傷の治療を目指す「KP8001」が臨床研究で安全性・有効性を評価されており、こちらの動向にも注目したい。

■収益性

同社および競合2社はバイオベンチャーで、いずれも今期業績は赤字予想となっており、収益性の指標にほとんど意味がない状況となっている。研究が進めば、契約一時金、マイルストーン収入、ロイヤルティー収入などが期待できることになる。一方、各治療薬候補の開発が進んでいることから、研究開発費は増加する傾向にある。

■財務安定性

24年12月期の自己資本比率は96.0%で、23年12月期の自己資本比率93.7%から上昇している。競合2社との比較でも高い水準にある。24年12月期末の現金及び預金は2,268百万円で前期の3,266百万円から減少した。今後も研究開発費や、研究開発運営経費、運転資金、設備投資は必要となる。それに対して、同社はアルフレッサと業務提携し、アルフレッサを割当予定先とする第三者割当による第1回～第3回無担保転換社債型新株予約権付社債(CB)を発行。これにより、差引手取概算額14億9,078万5,000円を調達する。

ウエルスアドバイザー・エクイティ・リサーチレポートの読み方

特徴

(1) 第三者機関として中立的な立場を重視

ウエルスアドバイザー・エクイティ・リサーチレポートは、ウエルスアドバイザーが位置する中立的な第三者としての立場を重要視し、客観的な比較・評価情報の提供に努めています。ウエルスアドバイザーがカバーする全銘柄に対し、アナリスト個人の見解に加え、複数のアナリストから成る銘柄評価委員会の意見を反映し、投資判断・想定株価レンジ・業績予想を決定しています。

(2) カバー銘柄のユニバース

カバー銘柄は下記対象銘柄から銘柄評価委員会が選出しています。

【銘柄選定基準】

- アナリストのカバー率が低い国内新興市場上場銘柄
- 個人投資家からの人気が高い銘柄（各オンライン証券のデータを参考）
- 時価総額を考慮（50億円程度以上を目安）
- 整理、監理銘柄や継続疑義、債務超過銘柄を除く

(3) 3段階の投資判断

カバー銘柄に対する投資判断は、ウエルスアドバイザーの各アナリストによる調査・取材・分析を基に銘柄評価委員会の協議を経て決定しています。下記の基準を基に3段階（最上位から「Overweight」（オーバーウエート）、「Neutral」（ニュートラル）、「Underweight」（アンダーウエート））で予測しています。

項目説明

■ アナリストコメント

直近の業績動向や事業環境について、取材に基づいた評価をコメントしています。投資判断の根拠や業績予想に対する見方、今後の事業展望などを記載し、株式投資をするうえで最も重要な情報を掲載しています。また、読みやすさを考慮してテーマごとに2～4つのパラグラフにまとめているほか、重要なポイントを太字で強調しております。

■ 業績動向

通期決算の実績2期分と会社予想、およびウエルスアドバイザーの独自予想を今期、来期の2期分掲載しております。各銘柄への取材に加え、四半期毎での過去の業績傾向やセグメント毎での分析に基づいて業績数値を予測しています。

■ 会社概要

各銘柄がどのようなビジネスを開いているのか、どこに収益源があるのかなどを詳しく解説するほか、今後どの事業に力を入れていくのか、中期的にはどのような事業展開を図っていくのかなどの中期的な見通しも取材を踏まえて掲載します。

■ 事業環境と展望

各銘柄が属する業界について、足元の状況や将来の成長性などの観点から解説します。競合他社への取材も実施することで業界全体を多方面から捉えるほか、業界団体のデータなど具体的な数値も掲載します。

■ リスク要因

各銘柄が有するリスクを解説します。事業面でのリスクに加え、業績面や財務面、株式市場独自のリスクなども考慮して様々な角度から見たリスクを示します。

■ 成長性

今期会社計画の売上高成長率、営業利益成長率、EPS成長率を競合他社と比較するほか、過去の経緯や主力事業の成長力などを評価します。

■ 収益性

今期会社計画の売上高営業利益率と前期実績の自己資本当期純利益率、総資産経常利益率を競合他社と比較するほか、過去からの収益性の変動などを評価します。

■ 財務安定性

前期実績の自己資本比率、デット・エクイティ・レシオ（=有利子負債/自己資本×100）、流動比率（=流動資産/流動負債×100）を競合他社と比較するほか、現預金やキャッシュフローなどの観点から財務安定性を評価します。