

2025年3月期 決算短信〔日本基準〕(非連結)

2025年5月14日

上場会社名 株式会社レナサイエンス 上場取引所 東
 コード番号 4889 URL <https://www.renaissance.co.jp/>
 代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 古田 圭佑
 問合せ先責任者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 古田 圭佑 (TEL) 022(727)5070
 定時株主総会開催予定日 2025年6月26日 配当支払開始予定日 —
 有価証券報告書提出予定日 2025年6月24日
 決算補足説明資料作成の有無 : 無
 決算説明会開催の有無 : 無

(百万円未満切捨て)

1. 2025年3月期の業績 (2024年4月1日~2025年3月31日)

(1) 経営成績

(%表示は対前期増減率)

	事業収益		営業利益		経常利益		当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2025年3月期	132	△31.7	△178	—	△178	—	113	—
2024年3月期	194	93.1	△252	—	△251	—	△258	—

	1株当たり 当期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 当期純利益	自己資本 当期純利益率	総資産 経常利益率	売上高 営業利益率
	円 銭	円 銭	%	%	%
2025年3月期	8.92	—	6.8	△9.0	△134.8
2024年3月期	△20.32	—	△14.9	△11.5	△130.0

(参考) 持分法投資損益 2025年3月期 一百万円 2024年3月期 一百万円

- (注) 1. 2024年3月期の潜在株式調整後1株当たり当期純利益については、1株当たり当期純損失であり、また、希薄化効果を有する潜在株式が存在しないため記載していません。
 2. 2025年3月期の潜在株式調整後1株当たり当期純利益については、希薄化効果を有する潜在株式が存在しないため、記載していません。

(2) 財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	百万円	%	円 銭
2025年3月期	1,871	1,720	91.9	135.32
2024年3月期	2,088	1,606	76.9	126.40

(参考) 自己資本 2025年3月期 1,720百万円 2024年3月期 1,606百万円

(3) キャッシュ・フローの状況

	営業活動による キャッシュ・フロー	投資活動による キャッシュ・フロー	財務活動による キャッシュ・フロー	現金及び現金同等物 期末残高
	百万円	百万円	百万円	百万円
2025年3月期	△176	382	△52	1,799
2024年3月期	△230	△1	46	1,646

2. 配当の状況

	年間配当金					配当金総額 (合計)	配当性向	純資産 配当率
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	百万円	%	%
2024年3月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
2025年3月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
2026年3月期(予想)	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—

3. 2026年3月期の業績予想 (2025年4月1日~2026年3月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	事業収益		営業利益		経常利益		当期純利益		1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	113	△14.1	△397	—	△360	—	△362	—	△28.52

※ 注記事項

(1) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 無
- ② ①以外の会計方針の変更 : 無
- ③ 会計上の見積りの変更 : 無
- ④ 修正再表示 : 無

(2) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む）	2025年3月期	12,711,700株	2024年3月期	12,711,700株
② 期末自己株式数	2025年3月期	一株	2024年3月期	一株
③ 期中平均株式数	2025年3月期	12,711,700株	2024年3月期	12,711,700株

※ 決算短信は公認会計士又は監査法人の監査の対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

（将来に関する記述等についてのご注意）

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。なお、業績予想に関する事項は、添付資料P.18「1. 経営成績等の概況（5）今後の見通し」をご参照ください。

○添付資料の目次

1. 経営成績等の概況	2
(1) 当期の経営成績の概況	2
(2) 当期の財政状態の概況	6
(3) 当期のキャッシュ・フローの概況	6
(4) 研究開発活動	7
(5) 今後の見通し	18
2. 会計基準の選択に関する基本的な考え方	18
3. 財務諸表及び主な注記	19
(1) 貸借対照表	19
(2) 損益計算書	21
(3) 株主資本等変動計算書	22
(4) キャッシュ・フロー計算書	23
(5) 財務諸表に関する注記事項	24
(継続企業の前提に関する注記)	24
(収益認識関係)	24
(セグメント情報等)	24
(持分法損益等)	24
(1株当たり情報)	25
(重要な後発事象)	25

1. 経営成績等の概況

(1) 当期の経営成績の概況

当社の経営成績、財政状態、キャッシュ・フロー（以下、「経営成績等」という。）及び研究開発活動の概要は、次のとおりです。

(経営成績の概要)

当社は、医療現場の課題を解決するために、多様なモダリティ（医薬品、医療機器、AIを活用したプログラム医療機器）を医師／研究者とともに医療現場で研究開発しています。医薬品事業は、研究開発費や研究開発期間が比較的大きく事業リスクが高い分野ですが、上市後には極めて高い収益が期待できる事業です。一方、医療機器やプログラム医療機器のパイプラインの事業収益は医薬品と比べると小さいですが、研究開発費や研究開発期間のリスクは小さく、早期に当社収益につながります。当社は、これら2つの事業ポートフォリオを、同時に複数のパイプラインを進めることにより、リスクを分散しながら早期の黒字化と将来の収益の拡大を目指します。

これまでの製薬企業や創薬ベンチャーの多くはパイプラインのバリューチェーン（開発の全ての工程の積み上げ）を自社で全て構築し、事業価値を高めることに注力してきました。大手製薬企業は潤沢な資金を背景に、多くのパイプラインのバリューチェーンを自社独自で形成するという既存の枠組みでの開発ができますが、ベンチャーのように資金が潤沢でない場合は、なかなか難しいのが現状です。当社は、公的資金や外部機関（研究機関、医療機関）のリソースを活用して開発コストを抑えるなど、効率の高い開発を実践してきました。外部機関とのアライアンスをもとに多くのバリューチェーン構築を考えており、既存ベンチャーとは戦略、研究開発、人的資源管理などが異なります。少ない人的リソースや経費で多くのパイプラインを広げ、モダリティを展開し、成果も出つつあります。自己資源や社内環境のみにこだわるのではなく、むしろ外部リソースや外部環境の積極的活用注力し、効率的にイノベーションを創出する枠組みを構築していきたいと考えています。当社は、大学や様々な異業種企業との連携や協業を基にオープンイノベーションを推進し、効率的な開発を実施しています。

当事業年度における総括を以下に記載します。

- **慢性骨髄性白血病（CML）**：2022年3月に国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）「革新的がん医療実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けて第Ⅲ相試験（医師主導治験）を開始しました。2023年12月末で症例登録を終了し、最終的に解析に必要な症例数を上回る57例が登録されました。2024年12月に実施されたAMED「革新的がん医療実用化研究事業」の最終年度評価の結果、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録が終了し、2年の延長期間内に試験を完了する目処が立っているとの理由から、さらに助成期間の2年間延長が承認されました（2024年12月3日適時開示）。
- **悪性黒色腫（メラノーマ）**：PAI-1阻害薬RS5614において、厚生労働省より悪性黒色腫に対する希少疾患用医薬品の指定を受けました（2024年9月2日適時開示）。RS5614の悪性黒色腫の第Ⅲ相医師主導治験の実施に対して東北大学病院における治験審査委員会（IRB）にて承認されました（2025年1月6日適時開示）。治験計画届を医薬品医療機器総合機構（PMDA）に提出し、最初の被験者への投与が東北大学病院で実施され第Ⅲ相試験（医師主導治験）を開始しました（2025年2月18日適時開示）。
- **全身性強皮症に伴う間質性肺疾患（SSc-ILD）**：2023年3月にAMED「難治性疾患実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けて、2023年10月から第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始しました。PAI-1阻害薬RS5614の第Ⅱ相医師主導治験における目標症例数を登録達成しました（2024年12月26日適時開示）。
- **抗加齢・長寿研究**：ノースウエスタン大学Potocsnak Longevity Institute（長寿研究所）の日本の研究室を、東北大学内のオープンイノベーション拠点である東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TREx）内に設立し、共同で長寿研究を実施することを合意しました（2025年1月22日適時開示）。さらに、XPRIZE財団によるコンテスト（XPRIZE HEALTHSPAN）に東北大学など国内複数の研究機関と共同で応募しました（2025年1月10日適時開示）。XPRIZE HEALTHSPANは、健康寿命を延ばすことができた研究チームに対して、総額1億米ドルを支払うという世界的なコンペティションです。このコンペティションは、XPRIZE財団が主催し、人間の老化や長寿に対する治療アプローチに革命を起こし、健康寿命を積極的に10年以上延伸するという挑戦的な課題に取り組むことを目的とします。当社はTOP40（セミファイナリスト）に入賞し、賞金25万米ドルを獲得することになりました（2025年5月13日適時開示）。

- **核酸医薬**：大阪大学発バイオベンチャーであるルクサナバイオテック株式会社との間で、新たな医薬品モダリティであるバイオ医薬品に関する共同研究契約を締結し（2024年6月24日適時開示）、低分子医薬品に加えて核酸医薬の事業開発に着手し、AMEDの令和6年度「スマートバイオ創薬等研究支援事業」に申請していた「革新的核酸医薬技術を基盤とした神経・筋難病治療薬の開発」が採択され（2024年9月10日適時開示）、非臨床試験を実施しています。
- **男性型脱毛症及び加齢性脱毛症外用薬**：米国Eirion Therapeutics, Inc.社における男性型脱毛症及び加齢性脱毛症外用薬ET-02（RS5441）の第I相臨床試験を開始し（2024年7月3日適時開示）、第I相臨床試験の安全性と有効性の結果（速報）が同社から報告されました（POC取得：2025年1月9日適時開示）。
- **糖尿病治療支援プログラム医療機器**：糖尿病患者のインスリン投与量を予測する人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器の薬事承認を目指して検証的臨床性能試験を実施し（2024年8月19日適時開示）、専門医に対するAI予測の非劣性（同等）が証明され（POC取得：2025年1月16日適時開示）、総括報告書を纏めました（2025年3月6日適時開示）。
- **呼吸機能検査診断プログラム医療機器**：本プログラム医療機器導出先のチェスト株式会社が対象地域拡大（国際展開）に係るオプション権を行使することに伴い、一時金を受領しました（2025年2月12日適時開示）。
- **維持血液透析医療支援プログラム医療機器**：維持血液透析を支援する人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器の薬事承認のための臨床性能試験を開始しました（2024年10月21日適時開示）。現在、解析に必要な症例数である150症例の登録を完了しました（2025年4月9日適時開示）。
- **ディスプレイザブル極細内視鏡**：米国Baxter Healthcare Corporation（バクスター社）とディスプレイザブル極細内視鏡に関するライセンス契約を解約し、新たに株式会社ハイレックスメディカルとのライセンス契約を締結し（2024年5月20日適時開示）、ディスプレイザブル極細内視鏡を用いた多施設臨床研究（60症例）を開始しました（2024年6月24日適時開示）。
- **国際共同研究**：プログラム医療機器の事業拡大を視野に、台湾の台北医学大学（Taipei Medical University、TMU）の子会社TMU-Biotech社（台湾）とプログラム医療機器における共同開発契約を締結し（2024年8月30日適時開示）、PAI-1阻害薬RS5614の臨床開発及び事業化について共同開発契約を締結しました（2024年11月5日適時開示）。また、長寿研究のためにノースウエスタン大学Potocsnak Longevity Institute（長寿研究所）の日本の研究室を、東北大学内のオープンイノベーション拠点である東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TReX）内に設立することに合意しました（2025年1月22日適時開示）。

（研究開発活動の実績）

a. 医薬品

PAI-1阻害薬RS5614はがん領域及び呼吸器疾患領域での臨床開発に注力しています。

（がん）

- － 慢性骨髄性白血病（第Ⅲ相）：2022年3月にAMED「革新的がん医療実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けて第Ⅲ相試験（医師主導治験）を開始しました。2023年12月末で症例登録を終了し、最終的に解析に必要な症例数を上回る57例が登録されました。2024年12月に実施されたAMED「革新的がん医療実用化研究事業」の最終年度評価の結果、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録が終了し、2年の延長期間内に試験を完了する目処が立っているとの理由から、さらに助成期間の2年間延長が承認されました。これにより、2026年3月期及び2027年3月期に見込んでいた費用計上がなくなり収益性が改善する見込みです。
- － 悪性黒色腫（第Ⅲ相）：2021年5月にAMED「橋渡し研究プログラムシーズC（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」に採択され、同年7月に第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始しました。2023年3月末時点で目標症例数40例全例の患者登録が完了しました。外科的切除が難しく、免疫チェックポイント阻害薬であるニボルマブが無効な悪性黒色腫患者に対して、ニボルマブとPAI-1阻害薬RS5614を8週間併用することにより、既承認の治療であるニボルマブとイピリムマブ併用以上の奏効率が得られました。また、実臨床で問題となっているニボルマブとイピリムマブ併用による重篤な副作用は、ニボルマブとRS5614の併用では見られず、安全性が確認されました。2023年12月に実施したPMDA対面助言により第Ⅲ相試験の臨床プロトコルを確定し、2024年8月には、厚生労働省より悪性黒色腫に対する希少疾患用医薬品の指定を受けました。今回、希少疾患用医薬品指定を受けたことにより、悪性黒色腫治療薬RS5614の薬価算定における市場性加算が加わり、さらに承認後の再審査期間が延長されて本治療薬事業の独占期間が長くなります。また、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所を通じての助成金交付などの優遇措置を受けられる可能性があります。12月には東北大学病院治験審査委員会において、第Ⅲ相試験実施の承認も得られました。PMDAに治験計画届を

提出し、2025年2月には最初の被験者への投与が東北大学病院で実施され、第Ⅲ相試験（医師主導治験）が開始されました。

- － その他のがん：上記2つの疾患での治験が順調に進んでいることから、新たながん領域の適応症で臨床開発を決定し実施しています。具体的には、2022年10月に広島大学と非小細胞肺癌に関する共同研究契約を締結しました。その後研究段階が非臨床試験から臨床試験（医師主導治験）に移行したため、2023年4月には「広島大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（HiREx）」を開設し、2023年9月から非小細胞肺癌の前期第Ⅱ相試験、2023年10月から皮膚血管肉腫の第Ⅱ相試験（いずれも医師主導治験）を開始しました。2024年11月にTMU-Biotech社と台湾及び日本でのPAI-1阻害薬RS5614の臨床開発及び事業化について共同開発契約を締結しました。また、当社のがん治療薬の取材記事が、2023年9月に科学誌『Nature』に掲載されました。

(呼吸器疾患)

- － COVID-19に伴う肺傷害（後期第Ⅱ相終了）：2021年6月からAMED「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けて後期第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始しました。2022年10月に患者登録を完了し、2023年4月に治験総括報告書が纏められました。本後期第Ⅱ相試験はオミクロン株の変異等により対象となる新型コロナウイルス肺炎患者（中等症、入院患者）数が減少し、目標より少ない症例数で治験を終了しましたが、特に早期治療におけるRS5614の有効性を示唆する結果を得ることができました。また、2022年11月に第一三共株式会社と、抗がん剤治療等から生じる間質性肺炎に対するRS5614の有効性を確認する臨床試験も視野に入れ、オプション契約の期間を延長し契約一時金を受領しました。前期及び後期第Ⅱ相医師主導治験の成績は、2024年1月に科学誌『Scientific Reports』に掲載されました。
- － 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患（SSc-ILD、第Ⅱ相）：2023年3月にAMED「難治性疾患実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けて、2023年10月から第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始しました。2024年12月には、本治験の解析に必要な目標症例数50例を達成しております。
- － 特発性間質性肺炎（非臨床）：RS5614が間質性肺疾患（間質性肺炎・肺線維症）を改善することを示唆する非臨床試験の成績に基づき、特発性間質性肺炎の急性増悪を対象とした臨床開発を視野に入れ、2022年12月に京都大学と共同研究契約を締結しました。肺障害領域での研究開発を展開するために、2023年6月に京都大学及び第一三共株式会社と当社の三者での共同研究契約を締結しました。

(抗加齢・長寿研究)

- － 当社はこれまでノースウエスタン大学や東北大学と共同研究を行い、老化にPAI-1が関与する一連の科学的事実を細胞、マウス、ヒト（疫学調査）などから明らかにしました。2025年1月にノースウエスタン大学 Potocsnak Longevity Institute（長寿研究所）の日本の研究室（TREx-Longevity Lab）を、東北大学内のオープンイノベーション拠点である東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TREx）内に設立することを、同研究所のDouglas E. Vaughan所長と合意しました。TREx-Longevity Labでは、ヒトの生物学的年齢の測定、臓器（免疫系、新血管系、神経系、代謝系、筋骨格系）の老化指標解析、老化バイオマーカー探索（エピゲノム、プロテオーム、トランスクリプトーム）に取り組み、さらに当社が有する老化を制御する医薬品の臨床試験実施にも取り組む予定です。また、当社は米国のXPRIZE財団による「高齢者の免疫、認知や筋肉の機能を10年若返らせたなら賞金総額1億ドル」のコンテスト（XPRIZE HEALTHSPAN）に応募し、2025年5月にTOP40（セミファイナリスト）に入賞し、賞金25万米ドルを獲得しました。TOP40のチームの1年間の研究成果を元に、2026年末にTOP10（ファイナリスト）が選定されます。当社は、長年取り組んできたPAI-1阻害薬RS5614の抗加齢・長寿作用に基づき、「老化細胞を除去し、がん化を促進する事なく老化関連疾患を抑制する新たな新規低分子医薬品」のコンセプト（Senolytic drug）を提唱し、東北大学、ノースウエスタン大学、東海大学、広島大学、東京科学大学など国内外の研究機関及び医療機関との共同でこのコンペティションに取り組めます。

b. 医療機器

- － ディスポーザブル極細内視鏡（薬事承認済）：2022年8月にはファイバースコープがPMDAに承認申請され、同年12月に厚生労働省から薬事承認されました。2022年9月に株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルと附属品であるガイドカテーテル作成を含めた医療機器開発に関する共同研究契約を締結しました。2024年5月、株式会社ハイレックスメディカルとライセンス契約を締結し、ガイドカテーテルとファイバースコープを合わせて2025年度に薬事申請する予定です。

c. AIを活用したプログラム医療機器

特に、呼吸機能検査診断、維持血液透析医療支援、糖尿病治療支援、嚥下機能低下診断の領域におけるプログラ

ム医療機器（SaMD）開発に注力しています。2024年8月にTMU-Biotech社と台湾及び日本でのSaMD実用化を目指した共同開発契約を締結しました。TMU-Biotech社は、台北医学大学（TMU）（<https://eng.tmu.edu.tw>）で研究開発される医療シーズの事業化を目的としたTMU100%の子会社です。この共同研究開発契約により、当社とTMU-Biotech社が協力して、日本と台湾の両方でAIを活用するSaMDのパイプラインの事業化を図るものです。TMUは1960年に設立された私立医科大学で、台湾でトップクラスにランクされ、キャンパス内には6つの病院を擁し、ベッド数は3,000床に至り、それら膨大な医療データ、さらにデータサイエンティストなどの研究者により、様々なSaMDの研究開発が実施されています。当社とTMU-Biotech社は、日本と台湾での事業化を目指し、AIを活用した革新的なSaMDの研究開発で協力し、両国での規制承認のための臨床性能試験を実施します。

2024年度から国立研究開発法人科学技術振興機構（JST）の産学共創プラットフォーム共同研究推進プログラム（OPERA）（代表機関：東北大学）に参画し、災害時においても安全安心な医療を提供するためのAIを活用した医療ソリューションに基づくデジタルツインモデルの開発を進め、2025年3月に本プログラムを終了しました。なお、当社のAIを活用したプログラム医療機器に関する取材記事が、2024年3月に科学誌『Nature』の取材記事として掲載されました。

- ー 呼吸機能検査診断SaMD（開発研究終了）：京都大学、チェスト株式会社、NECソリューションイノベータ株式会社（NES）と共同開発を実施しています。2023年3月に開発段階の研究を完了し、同年6月にはチェスト株式会社より事業化段階への移行に関するマイルストーンを受領しました。2025年2月には、導出先のチェスト株式会社から対象地域拡大（国際展開）に係るオプション権行使に伴う一時金を受領しました。
- ー 維持血液透析医療支援SaMD（臨床性能試験実施中）：聖路加国際大学、東北大学、ニプロ株式会社、日本電気株式会社（NEC）、NESと共同開発を実施しています。2023年2月にはAMED「医療機器開発推進研究事業（代表機関：東北大学、当社は協力機関）」に採択されました。2023年4月にPMDA開発前相談を実施し、2024年1月にはPMDAプロトコール相談を完了しました。2024年10月から薬事承認申請のための臨床性能試験を実施し、目標症例数である150症例の登録を達成しました。さらに、血液透析における除水量や血流量の調整を制御する血液透析装置搭載型AIの開発に着手し、2023年12月に東レ・メディカル株式会社、2024年3月にニプロ株式会社と共同開発契約を締結しました。2022年10月に基本となる知的財産権を出願し、2023年5月に国際出願を行いました。また、2024年1月には新たな知財を追加出願しました。
- ー 糖尿病治療支援SaMD（臨床性能試験終了）：東北大学、NEC、NESと共同開発を実施しており、2022年4月にAMED「医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）（当社が代表機関）」に採択されています。2024年2月にPMDAプロトコール相談を実施し、臨床性能試験のプロトコールが確定しました。2024年8月から薬事承認のための臨床性能試験を実施し、目標症例数である130症例のデータを取得しました。解析の結果、得られた正解率（平均）は85.46%であり、当初設定していた主要評価項目の目標正解率80%を5%上回る結果であり、専門医に対するAI予測の非劣性（同等）が実証され、2025年3月に総括報告書を纏めました。また、2022年6月に基本となる知的財産権を出願し、2023年4月には国際出願を行いました。
- ー 嚥下機能低下診断SaMD（開発研究）：東北大学、NECと共同開発を実施しており、音声から嚥下機能の低下を診断するプログラム医療機器を開発しています。既に、健常者と嚥下機能低下患者の音声を区別できるAIを開発し、2023年3月に基本となる知的財産権を出願しました。さらに、2023年12月にはPMDA開発前相談を実施しました。
- ー その他SaMD：乳がん病理診断、心臓植込み型電気デバイス患者における不整脈・心不全発症予測、人工心臓患者における血栓発生予測などの新たなAIを活用したプログラム医療機器研究を開始しました。人工心臓患者における血栓発生予測では株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルと共同研究を開始しました。

（事業収益に関する実績）

ニプロ株式会社と血液透析における目標除水量を予測する人工知能アルゴリズム開発に関する共同契約を締結しており、契約一時金を受領しました。

東レ・メディカル株式会社と人工知能（AI）搭載型血液透析医療機器の開発に関する共同開発契約を締結しており、共同研究の対価として2024年6月と12月にマイルストーン収入を計上しました。

エイリオン社と皮膚疾患治療RS5441（経皮薬、経口薬）の独占的实施権を許諾するライセンス契約を2016年10月31日に締結しており、エイリオン社の米国での第I相試験開始（経皮薬）に伴い、契約に基づくマイルストーンをエイリオン社から受領しました。

導出先のチェスト株式会社から対象地域拡大（国際展開）に係るオプション権行使に伴う一時金を受領しました。

また、当社ではCML、SSc-ILD、糖尿病治療支援SaMDのプロジェクトはAMED事業に採択されており、研究開発業務を受託し、受託業務の対価を受託研究収入として計上しています。

以上の結果、当事業年度における事業収益は、血液透析における目標除水量を予測する人工知能アルゴリズム開発に係るニプロ株式会社からの一時金の受領及び人工知能（AI）搭載型血液透析医療機器の開発に係る東レ・メディカル株式会社からのマイルストーン収入の計上並びに皮膚疾患治療RS5441（経皮薬）の第I相試験開始に伴うエイリオン社からのマイルストーン収入、さらにチェスト株式会社よりオプション権行使に伴う一時金の受領に加え、AMED事業に係る受託研究収入の計上により132,693千円（前事業年度は事業収益194,165千円）となりました。また、営業損失は、慢性骨髄性白血病（CML）治療薬や悪性黒色腫治療薬、非小細胞肺がん治療薬及び皮膚血管肉腫治療薬等に係る研究開発費132,869千円を含む事業費用307,774千円を計上したことにより178,827千円（前事業年度は営業損失252,335千円）、経常損失は、売上債権の為替換算に伴う為替差損1,228千円を計上したことなどにより178,987千円（前事業年度は経常損失251,875千円）、当期純利益は、バクスター社とのディスプレイ極細内視鏡におけるライセンス契約の解約に伴う解約金収入20,000千円及びAMEDの医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）の債務減額に伴う債務免除益303,918千円を特別利益に計上し、また、減損損失1,166千円を特別損失に計上、法人税、住民税及び事業税30,336千円を計上したことにより113,427千円（前事業年度は当期純損失258,335千円）となりました。

なお、当社の事業は単一セグメントであるため、セグメント別の記載を省略しております。

（2）当期の財政状態の概況

（資産）

当事業年度末の流動資産は、前事業年度末の2,086,473千円と比べて215,221千円減少し、1,871,252千円となりました。これは主として研究開発費や人件費などの支払いにより、現金及び預金が227,074千円減少したことなどによるものです。

また、当事業年度末の固定資産は、前事業年度末の2,360千円と比べて2,250千円減少し、110千円となりました。これは差入保証金の回収によるものです。

この結果、資産合計は、前事業年度末の2,088,833千円と比べて217,471千円減少し、1,871,362千円となりました。

（負債）

当事業年度末の流動負債は、前事業年度末の126,008千円と比べて25,201千円増加し、151,210千円となりました。これは主として、未払法人税等が31,302千円増加したことなどによるものです。

また、当事業年度末の固定負債は、前事業年度末の356,100千円と比べて356,100千円減少し、一千円となりました。これは、AMED採択プロジェクトであるPMS/PMDD治療薬の開発に関する長期借入金の一部を支払ったこと及び残額を債務免除されたことによるものです。

この結果、負債合計は、前事業年度末の482,109千円と比べて330,898千円減少し、151,210千円となりました。

（純資産）

当事業年度末の純資産は、前事業年度末の1,606,724千円と比べて113,427千円増加し、1,720,151千円となりました。これは当期純利益113,427千円を計上したことによるものです。

（3）当期のキャッシュ・フローの概況

当事業年度における現金及び現金同等物（以下、「資金」という。）は、前事業年度末の1,646,193千円に比べ153,622千円増加し、1,799,816千円となりました。

当事業年度における各キャッシュ・フローの状況と主な変動要因は次のとおりです。

（営業活動によるキャッシュ・フロー）

当事業年度の営業活動資金の支出額は176,342千円（前事業年度は230,519千円の支出）となりました。これは主として、債務免除益303,918千円の計上などによるものです。

(投資活動によるキャッシュ・フロー)

当事業年度の投資活動資金の収入額は382,147千円（前事業年度は1,567千円の支出）となりました。これは、定期預金の払戻しによる収入380,697千円を計上したことなどによるものです。

(財務活動によるキャッシュ・フロー)

当事業年度の財務活動資金の支出額は52,182千円（前事業年度は46,500千円の収入）となりました。これは、長期借入金の返済による支出61,658千円を計上したことなどによるものです。

(4) 研究開発活動

当社は、医薬品・医療機器・AIを活用したプログラム医療機器など、多様なモダリティ（治療様式）にわたる複数パイプラインの研究開発を進めており、当事業年度における主要パイプライン開発の進捗及びこれまでの開発実績は以下のとおりです。

なお、当事業年度における研究開発費は132,869千円であり、当事業年度末の当社研究開発従事者人員は7名（臨時雇用者を含む）です。

a. RS5614 (PAI-1阻害薬)

(a) 慢性骨髄性白血病 (CML) 治療薬

CML患者を対象とした後期第Ⅱ相医師主導治験において、チロシンキナーゼ阻害薬（tyrosine kinase inhibitor、TKI）とRS5614を併用し、RS5614投与開始後48週における累積の深い分子遺伝学的奏効（deep molecular response、DMR：がんの原因遺伝子が検出されない状態）の達成率（※1）は33.3%（33例中11例でDMRを達成）であり、TKI単独でのヒストリカルコントロール（8-12%）に比べて有意に上昇していることを確認しました（2021年3月治験総括報告書完成、POC取得）。特に、TKI治療期間が3年以上5年以下の患者での累積DMR達成率は50.0%に達しました。また、RS5614の1年間の長期投与でも治療薬と因果関係のある重篤な有害事象は認められませんでした。本試験結果は、科学誌『Cancer Medicine』に掲載されました。

後期第Ⅱ相医師主導治験の成績に基づいて、東北大学、東海大学、秋田大学等、12の大学／医療機関と共同で慢性期CML患者を対象にTKIとRS5614の併用効果を検証するプラセボ対照二重盲検（※2）の第Ⅲ相医師主導治験を実施中です。本試験は、2022年3月にAMED「革新的がん医療実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」に採択されました。PMDAと2021年11月及び同年12月に対面助言を行い、2022年5月にPMDAに治験計画届を提出し、多施設共同の第Ⅲ相試験が開始されました。TKI治療期間が3年以上6年未満の慢性期CML患者60例を対象とし、TKI単独投与群よりも治験薬RS5614の併用群がTFRの指標である2年間以上のDMR維持率の有意な上昇の検証を行います（2026年まで実施予定）。2023年12月末の症例登録期間内に解析に必要な症例数を上回る57例が登録され、治験は予定通り進行中しています。2024年12月に実施されたAMED「革新的がん医療実用化研究事業」の最終年度評価の結果、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録が終了し、2年の延長期間内に試験を完了する見込みが立っているとの理由から、さらに助成期間の2年間延長が承認されました。これにより、2026年3月期及び2027年3月期に見込んでいた費用計上がなくなり収益性が改善する見込みです。後期第Ⅱ相医師主導治験の結果が、2022年9月に科学誌『Cancer Medicine』に掲載されました。また、CMLを含む当社のがん治療薬の取組みが、2023年9月科学誌『Nature』の取材記事として掲載されました。

（※1）DMR達成率とTFR：現在の慢性期CML治療では高額なTKIを生涯服用する必要がありますが、最も深い治療効果であるDMRを達成し、一定期間維持した一部の患者では、TKIを中止しても再発がないこと（無治療寛解維持：TFR）が近年明らかとなっています。これまでに既存TKIで公表されている1年間（48週）の累積DMR達成率は8-12%（ヒストリカルコントロール）です。なお、DMR維持とは、DMRを達成した状態が一定期間継続することです。

（※2）二重盲検：対象患者を無作為に、治験薬（今回はRS5614）を投与する群と対照薬（今回は効果がないプラセボ）を投与する群に分け、医師も患者もどちらが投与されるかを知らない条件で、両群同時に薬を投与する臨床試験方法。医師が効果の期待される患者に対して被験薬を投与するなどの故意が生じる恐れや、効果があるはずといった先入観が評価に反映される可能性や、患者が知った場合もその処置への反応や評価に影響が生じることを避けるための試験方法です。それぞれの群で出た結果を比較評価することで、治験薬の効果があるかを判断します。

(b) 悪性黒色腫（メラノーマ）治療薬

国内の悪性黒色腫患者では、海外とは異なるサブタイプの悪性黒色腫が多いことから、抗PD-1抗体（ニボルマブ）単剤療法による治療の奏効が困難とされています。RS5614が免疫チェックポイント分子を制御しがん免疫系を活性化作用に基づき、NPO法人「JSCaN」を立ち上げて悪性黒色腫の治療成績向上のために連携している東北大学、筑波大学、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学、熊本大学の6大学と共同で、悪性黒色腫治療薬としてのRS5614の有効性と安全性を確認するための第Ⅱ相医師主導治験を2021年7月に開始しました。

本試験は、2021年5月にAMED「橋渡し研究プログラムシリーズC（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」の支援を受けた、進行性悪性黒色腫患者40例を対象とする多施設共同、非盲検試験です。ニボルマブ併用のもと、RS5614を1日1回120-180 mgで投与し、8週間投与後に有効性と安全性の評価を行い、40例の患者登録が2023年3月で終了しました。本治験の結果、悪性黒色腫患者29例に対して、当社が開発したPAI-1阻害薬RS5614を8週間併用することにより、主要評価項目で7例において奏効が見られました（奏効率 24.1%）。

被験者数	29
奏効(%)	7 (24.1%)
95%信頼区間	[10.3%, 435.5%]

分類	例数 (%)
完全奏功 (CR)	1 (3.4%)
部分奏功 (PR)	6 (20.7%)
安定 (SD)	11 (37.9%)
進行 (PD)	11 (37.9%)

この奏効率は、現在承認されている、ニボルマブとイピリムマブの併用の有効性と同等以上の成績でした（ニボルマブ無効例におけるニボルマブとイピリムマブ併用の奏効率は、海外21%、国内13.5%）。また、ニボルマブとRS5614の併用による疾患制御率は62%に達しました。ニボルマブとイピリムマブ併用では重篤な免疫関連副作用が多発することが問題となっていますが、ニボルマブとRS5614の併用においては特に問題となる重篤な副作用も見られていません。本試験の速報結果は2023年8月に開示しており、2024年2月に同内容で治験総括報告書が作成されました。また、2024年6月に、本治験の結果が科学誌『British Journal of Dermatology』に掲載されました。

悪性黒色腫の次相試験に関して、2023年12月にPMDA対面助言を実施し、臨床プロトコルを確定し、2024年8月には厚生労働省より悪性黒色腫に対する希少疾患用医薬品の指定を受けました。本指定により、PMDAの優先的な指導・助言、薬価算定における市場性加算、さらに承認後の再審査期間が延長され本治療薬事業の独占期間が長くなることが見込まれます。また、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所を通じての助成金交付などの優遇措置を受けられる可能性があります。

2024年12月には、第Ⅲ相医師主導治験の実施について、東北大学病院治験審査委員会（IRB）から承認されました。PMDAに治験計画届を提出し、2025年2月に最初の被験者への投与が東北大学病院で実施され、根治切除不能悪性黒色腫患者124例を対象にニボルマブとのRS5614の併用の有効性及び安全性を検証する第Ⅲ相医師主導治験を開始しました。本治験は薬事申請へ向けた検証的な第Ⅲ相試験であり、東北大学を含む18施設による多施設共同試験で実施しています。

悪性黒色腫を含む当社のがん治療薬への取組みが、2023年9月科学誌『Nature』の取材記事として掲載されました。

(c) 非小細胞肺癌治療薬

非臨床試験から、PAI-1が肺がんの腫瘍進展、さらにはがん細胞の増殖能亢進や血管新生に関与していること、さらに抗PD-1抗体に耐性となった肺がん細胞がPAI-1を高発現することなどの知見が明らかとなり、当社と広島大学との共同研究で小細胞性肺癌モデルマウスを用いた非臨床試験を実施した結果、抗PD-1抗体とRS5614の併用投与は抗PD-1抗体単剤投与よりも高い抗腫瘍効果を示すことを確認しました。そこで、2つ以上の化学療法歴を有する切除不能な進行・再発の非小細胞肺癌患者（3次治療以降の患者）39例を対象に、ニボルマブとRS5614との併用投与の有効性及び安全性を検討することを目的とした国内前期第Ⅱ相医師主導治験を開始しました。2023年3月にPMDA相談を終了し、治験実施計画書が確定したことから、広島大学、島根大学、岡山大学、鳥取大学、四国がんセンター、広島市民病院などの医療機関と協力して2023年9月から治験を実施しています。本治験において有効性が確認できれば、3次治療以降で有効な治療法を提案できます。悪性黒色腫から肺がんへの適応拡大は、抗PD-1抗体などの免疫チェックポイント阻害薬と同じ展開です。

当社は、2022年10月に国立大学法人広島大学と非小細胞肺癌に対する非臨床試験及び臨床試験に向けての共同

研究契約を締結しました。研究段階が非臨床試験から臨床試験（医師主導治験）に移行したこと、さらには広島大学の特色や強みを生かし、医師主導治験実施を含めた医薬品及びプログラム医療機器の共同研究開発を行い、研究開発の効率化及び推進並びに人材育成などを目的としたオープンイノベーション拠点（Hiroshima University x Renaissance Open innovation Labo: HiREx）を設けるため、2023年4月に広島大学と包括的研究協力に関する協定書を締結しました。本治験はHiRExを主体に実施しています。

(d) 血管肉腫治療薬

東北大学との共同研究において、血管内皮細胞の腫瘍である血管肉腫はPAI-1を高発現しており、その発現頻度が高い患者では1次治療でのタキサン系抗がん剤の効果が得られにくいことが報告されています。タキサン系抗がん剤の作用機序としては、アポトーシスの誘導が考えられていますが、PAI-1は主として血管内皮から産生され、PAI-1を高発現しているがん細胞はアポトーシス耐性であることから、タキサン系抗がん剤とPAI-1阻害薬RS5614を併用することにより、タキサン系抗がん剤の血管肉腫治療効果を増強できる可能性が強く示唆されます。

2023年1月にPMDA相談を終了、治験実施計画書が確定し、同年8月に治験計画届を提出しました。東北大学、自治医科大学、九州大学、名古屋市立大学、国立がん研究センター中央病院、がん研究会有明病院などの大学/医療機関と共同で、タキサン系抗がん剤パクリタキセルが無効となった皮膚血管肉腫患者16例を対象にパクリタキセルとRS5614の併用による有効性及び安全性を評価する第Ⅱ相医師主導治験を2023年10月に開始しました。本研究で有効性を検証できれば、有効な治療薬のない皮膚血管肉腫患者に対して新たな治療法が提案できます。本治験はHiRExを主体に実施しています。

(e) 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に伴う肺傷害治療薬

当社は、RS5614の肺微小血栓、線維化、肺気腫改善作用及び肺（上皮）保護作用に着目し、COVID-19に伴う肺傷害治療薬（経口薬）を開発しています。2020年秋から前期第Ⅱ相医師主導治験（非盲検）を実施し、2021年6月に治験総括報告書が完成しました。特筆すべき副作用は無く、肺傷害で入院し本治験薬を投与された26名全員が無事退院されました。

前期第Ⅱ相医師主導治験の成績に基づき、東北大学、京都大学、東京科学大学、東海大学等国内20の大学等の医療機関と共同で、COVID-19に伴う肺傷害患者（中等症、入院患者）を対象とするプラセボ対照二重盲検の後期第Ⅱ相医師主導治験を実施しました。本治験は、2021年3月にAMED「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」に採択され、2021年4月のPMDA事前面談に基づき実施計画書を確定して2021年6月から開始しました。本治験は、COVID-19の流行時期やウイルス株変異の影響を受け、治験の対象となる肺炎入院患者数が減少したため、最終的に入院患者75例（RS5614群39例、プラセボ群36例）を対象にプラセボ対照第Ⅱ相試験を実施し、2023年4月に治験総括報告書を纏めました。有効性の主要評価項目である「酸素化悪化指標スケール（※1）の総和」は、両群間で統計学的な有意差は認めませんでした。プラセボ群に対してRS5614群で悪化の抑制が見られ、特に中等症Ⅰ患者（※2）での有効性が示唆されました。さらに、酸素治療が必要となる症例の割合も、入院後3～5日でRS5614群の方が少ないことから、早期治療でのRS5614の有効性が示唆されました。また、RS5614群では、プラセボ群と異なり、肺炎画像所見の改善も認めました。副作用発現率はRS5614群とプラセボ群で同程度であり、COVID-19に伴う肺傷害患者に対する本被験薬（RS5614）投与の安全性も確認できました。

RS5614は抗ウイルス薬とは作用機序が全く異なり、肺炎に対する内服薬です。現時点で抗ウイルス薬以外のCOVID-19に伴う肺傷害に対する治療薬は高額な注射薬ですが、RS5614は経口投与が可能であり、化学合成で製造される低分子医薬品であるため、その価格も低く抑えられます。現在、COVID-19は落ち着いていますが、肺炎を惹起する新たな株の発生に際して速やかに次相臨床試験（軽症から中等症Ⅰの肺炎患者を対象）を実施できるよう準備をし、2023年4月にPMDA事前面談を実施しました。

2020年12月にCOVID-19に伴う肺傷害及びその他肺傷害等の肺疾患治療用途について第一三共株式会社とオプション権付優先交渉権に関する契約を締結しました。本契約締結時はオプション期間を1年後の2021年12月としていましたが、後期第Ⅱ相医師主導治験の期間に合わせてオプション期間を2022年12月まで延長しました。さらに、2022年11月には、COVID-19に伴う肺傷害だけではなく、抗がん剤治療等から生じる間質性肺炎に対するRS5614の有効性を確認する臨床試験も視野に入れ、オプション期間を2025年3月まで延長する覚書を締結し、オプション期間延長の対価を受領しました。

2023年10月に、PAI-1阻害薬の新規用途特許兼用法用量特許「線溶系亢進薬、及びその用途」が日本において特許査定が得られ、2041年5月まで有効です（米国、欧州は出願中）。本特許により、当社PAI-1阻害薬の医薬用途及び用法用量に関する発明が保護され、さらに特許期間の延長が可能となります。なお、前期及び後期第Ⅱ相医師主導治験の結果は、2024年1月に科学誌『Science Report』に掲載されました。

- (※1) 被験者の酸素化の状況を、酸素なし（0点）～人工呼吸器エクモ装着（5点）までの点（例えば、酸素投与2L以上、5L未満は2点）を毎日付けて14日間の合計で比較
- (※2) 定義は「新型コロナウイルス感染症COVID-19診療の手引き、第10.0版」に記載
 - ・ 中等症Ⅰ：新型コロナウイルス感染症で、血中の酸素の値が93%から96%の間で、呼吸困難や肺炎初見が認められるが、呼吸不全はなく、酸素投与治療は行われていないステージ
 - ・ 中等症Ⅱ：血中の酸素の値が93%以下で、呼吸不全があり、酸素投与治療が必要なステージ
 - ・ 重症：集中治療や人工呼吸器が必要なステージ

(f) 全身性強皮症に伴う間質性肺疾患（SSc-ILD）治療薬

数々の国内外との共同研究にてRS5614が非臨床試験で種々の肺傷害（気腫、線維化、炎症）の改善と上皮細胞保護作用を示すことから、SSc-ILDの線維化を抑制する治療薬としての開発に着手しました。SSc-ILDのモデルであるブレオマイシン誘導皮膚/肺線維化モデルマウスを用いて、SSc-ILD治療薬であるニンテダニブ（10、50 mg/kg/日）とRS5614（1、5 mg/kg/日）の4週間連続投与における有効性比較の非臨床試験を行った結果、肺傷害の抑制作用の指標であるヒドロキシプロリン量の増加及びAshcroft scoreにおいて、RS5614はニンテダニブに比して、より低用量で有意な改善を示しました。そこで、SSc-ILDに対するRS5614の安全性と有効性を検証する第Ⅱ相医師主導治験（プラセボ対照二重盲検試験）を開始しました。2023年2月に実施したPMDA事前面談に基づき同年5月に実施した対面助言で最終的な臨床プロトコールが確定し、2023年9月に治験計画届を提出しました。本試験は、2023年3月にAMED「難治性疾患実用化研究事業（代表機関：東北大学、当社は分担機関）」に採択されました。東北大学、東京大学、金沢大学、福井大学、大阪大学、和歌山県立医科大学、群馬大学、横浜市立大学、札幌医科大学、藤田医科大学の国内10の大学／医療機関と共同で、2023年10月からSSc-ILD患者50名を対象に2年半の治験を実施しています。2024年12月には、目標症例数である50症例の登録が完了しています。今後、被験者の投与期間（48週間）を経て、本試験の評価、データ解析の結果を治験総括報告書に纏める予定です。

(g) 特発性間質性肺疾患治療薬

RS5614が間質性肺疾患（間質性肺炎・肺線維症）を改善することを示唆する非臨床試験の成績に基づき、特発性間質性肺炎の急性増悪を対象としたRS5614の臨床試験実施を視野に入れて、2022年12月に京都大学と共同研究契約を締結しました。また、抗がん剤投与に伴う間質性肺炎に対する本医薬品の有効性を確認する臨床試験も視野に入れ、第一三共株式会社との契約も延長しました。肺障害領域での研究開発をさらに展開するため、2023年6月に京都大学及び第一三共株式会社と当社の三者での共同研究契約を締結しました。

(h) 抗加齢（アンチエイジング）・長寿研究

XPRIZE HEALTHSPANは、健康寿命を延ばすことができた研究チームに対して、総額1億米ドルを支払うという世界的なコンペティションです。このコンペティションは、XPRIZE財団（※1）が主催し、人間の老化や長寿に対する治療アプローチに革命を起こし、健康寿命を積極的に10年以上延伸するという挑戦的な課題に取り組むことを目的とします。当社は、この世界的コンペティションに応募し、TOP40（セミファイナリスト）に入賞し、賞金25万米ドルを獲得しました。

XPRIZE財団はアメリカの非営利の民間財団であり、イーロンマスク氏などがスポンサーに名を連ねています。同財団は、これまで世界初の民間による月面探査、二酸化炭素（CO₂）の回収・貯留技術のコンペティションを行うなど、人類に利益を与える技術の開発や、世界が直面する課題の解決を目的とした賞金を懸けた幾つかコンペティションを実施してきました。

今回のXPRIZE HEALTHSPAN (<https://www.xprize.org/prizes/healthspan>) は、人間の老化や長寿に対する治療アプローチに革命を起こし、健康寿命を積極的に10年以上延伸することを目的とし、2030年までに健康寿命を延ばすことができた研究チームに対して、総額1億米ドルを支払うという長寿を課題としたコンペティションです。世界

から600以上のエントリー、200以上の書類応募があり、人間の長寿に対する治療アプローチとして、低分子医薬品、バイオ医薬品（ワクチン、免疫調節剤、モノクローナル抗体、および組み換えタンパク質治療薬）、遺伝子治療、細胞治療、医療機器（医療治療機器、ゲームベースのデバイス、デジタルヘルスデバイス）、電気医療機器、磁気医療機器、サプリメント、機能性食品、食事療法、運動療法、さらにそれらの組み合わせなど様々なモダリティが提案されました。

当社は、PAI-1阻害薬RS5614の抗加齢作用（※2）に基づき、「老化細胞を除去し、がん化を促進する事なく老化関連疾患を抑制する新たな新規低分子医薬品」のコンセプト（Senolytic drug（※3））を提唱し、東北大学、東海大学、広島大学の研究機関及び医療機関との共同で、昨年末にこのXPRIZE HEALTHSPANに応募しました。

2025年5月12-14日に米国ニューヨークで開催されたXPRIZE HEALTHSPANの受賞セレモニーで、当社はTOP40（セミファイナリスト）に入賞し、賞金25万米ドルを受け取りました。セミファイナリストは、2026年3月末までに1年以内のセミファイナル臨床試験（※4）を実施し、その報告書をXPRIZE HEALTHSPAN評価委員会に提出します。このセミファイナル臨床研究成績を元に、2026年後半にTOP10（ファイナリスト）が選出され（賞金100万米ドル）、最終コンペティションのための4年のファイナル臨床研究（※5）が実施されます。ファイナル臨床研究を実施したTOP10のチームの中で最も優れた研究に対しては、寿命を延ばした年数に応じて賞金が与えられます（最大8,100万米ドル）。当社は、東北大学、ノースウェスタン大学、東海大学、広島大学、東京科学大学など国内外の研究機関及び医療機関との共同で、このXPRIZE HEALTHSPANに取り組みます。

【XPRIZE Healthspansスケジュール】

2025年5月12日	セミファイナリスト発表（40チーム、賞金25万米ドル）
2025年8月1日～2026年3月	セミファイナル臨床試験実施
2026年3月末	セミファイナル臨床試験報告書提出
2026年7月～9月	ファイナリスト発表（10チーム、賞金100万米ドル）
2026年10月～2029年12月	ファイナル臨床試験実施
2030年2月	ファイナル臨床試験報告書提出
2030年12月	グランプリ発表（最大8,100万米ドル）

当社は、『ヒトが心身共に生涯にわたって健康を享受できるための新しい医療を創造したい』との目標を掲げて研究に取り組んでいますが、老化関連疾患の治療薬開発は当社の重要な研究及び事業の課題です。日本を含む先進国では超高齢化が進み、平均寿命と健康寿命（心身ともに健康で自立して生活できる期間であり、平均寿命から寝たきりや認知症などの介護状態の期間を差し引いた期間）の差が約10年あることが大きな課題となっています。加齢と共に生じる種々の疾患、例えば、がん、循環器疾患、呼吸器疾患、糖尿病などを治療できれば、健康寿命の延伸に繋げることができます。これら4疾患は全世界の死亡者数の70-80%に至り、世界保健機関（WHO）でも老化や生活習慣に伴う重要な疾患として位置付けられています。当社は、これら4疾患の治療薬を含めた健康寿命を伸ばすための医薬品開発という医学的あるいは社会的にも重要な課題を解決すべく取り組んでおり、XPRIZE HEALTHSPANという世界的な長寿コンペティションで、当社の開発している医薬品のポテンシャルを評価いただきたいと考えます。

現時点では、RS5614はヒトの医療用医薬品（医師の診断や処方箋に基づいて使用される医薬品で処方薬ともいう）として開発しているので、がんなど個々の疾患に対する治療の適応をとるための臨床試験（治験）を実施しています。一方、長寿は検証することが難しいので、治験や医療用医薬品の対象とはなりません。一方、長寿やアンチエイジング（抗老化）は、超高齢化を背景に急成長しているセルフメディケーション分野、OTC医薬品（※6）、さらには動物医薬品市場の重要なテーマです。当社が開発したPAI-1阻害薬RS5441の脱毛症治療薬としての実例もあり、当社のPAI-1阻害薬の抗加齢（アンチエイジング）・長寿研究をさらに推進し、医療用医薬品以外の適応に関しても検討したいと考えます。

（※1）XPRIZE財団

イーロンマスク氏などがスポンサーとなり、人類のための根本的なブレークスルーをもたらすことによって、新たな産業の創出と市場の再活性化を刺激することを使命とし、様々な世界的な挑戦的コンペティションを開催する財団です。

（※2）PAI-1阻害薬RS5614の抗加齢作用

当社はこれまで老化について長年研究しており、米国ノースウエスタン大学および東北大学との共同研究より、当社の開発したPAI-1阻害薬RS5614が細胞や老化マウスにおいて、老化症状を改善し、長寿につながる可能性があることを示唆する下記一連の科学的事実を明らかにしてきました。

- ・ 生物の細胞は、細胞老化（※7）と呼ばれる現象のために、無制限に増殖することはできません。この現象には、遺伝子のテロメア長（※8）の短縮、p53, p21, p16ink4aなどの細胞老化因子が関与しています。老化した細胞は、PAI-1の発現が極めて高いことが分かっています。当社が開発したPAI-1阻害薬は、p53, p21, p16 ink4aを抑制して、老化バイオマーカー（※9）を改善し、心筋細胞、線維芽細胞、血管内皮細胞の細胞老化を阻害します（Oncotarget, 2016）。
- ・ 当社が開発したPAI-1阻害薬は、ヒトの早老症であるハッチンソンーギルフォード症候群（※10）（指定難病333）の線維芽細胞のDNA損傷を減少し、ミトコンドリア障害を改善し、ハッチンソンーギルフォード症候群の細胞異常を是正することがわかりました（Cell Death and Disease, 2022）。
- ・ 細胞のみならず、老化した組織や個体（マウス、ヒト）では、PAI-1の発現が高いことが知られています。老化モデルとして有名なklothoマウス（※11）を用いた非臨床試験で、PAI-1阻害薬はklothoマウスの老化主症状を改善することがわかりました（Proc Natl Acad Sci USA, 2014）。米国に生活するアーミッシュ（※12）の血液を検査し、PAI-1遺伝子を欠損している者が多数存在していることを確認し、これらのPAI-1遺伝子欠損者が同遺伝子保有者と比べて10年程度寿命が長いことを報告しました（Science Advances, 2017）。このヒトでの疫学調査は、細胞やマウスでの実験結果とも一致しています。この事実は2017年11月21日のニューヨークタイムズの記事（November 11, 2021）で紹介されました。さらに、アーミッシュのヒトと同じPAI-1遺伝子の異常を有するマウスの寿命は、正常のマウスに比べて20%程度長いことが示されました。
- ・ がん、血管（動脈硬化）、肺（肺気腫、慢性閉塞性肺疾患）、代謝（糖尿病、肥満）、腎臓（慢性腎臓病）、骨・筋肉（骨粗鬆症、サルコペニア）、脳（脳血管障害、アルツハイマー病・認知症）など加齢関連疾患の臓器ではPAI-1の発現は極めて高く、当社のPAI-1阻害薬を投与することで病態が改善できることが国内外の多くの大学との共同研究から明らかとなりました（下図）。

当社が開発したPAI-1阻害薬を用いた非臨床試験

疾患	文献	疾患	文献
慢性 骨髄性白血病	<input type="checkbox"/> Blood 2012 <input type="checkbox"/> Stem Cells. 2014 <input type="checkbox"/> Blood. 2017 <input type="checkbox"/> Biochem ,Biophys Res Commun. 2019 <input type="checkbox"/> Haematologica 2021 <input type="checkbox"/> BBRC 2021 <input type="checkbox"/> Tohoku J Exp Med. 2022 <input type="checkbox"/> Cancer Med. 2023	血管 (動脈硬化)	<input type="checkbox"/> Circulation. 2013 <input type="checkbox"/> Oncotarget. 2016 <input type="checkbox"/> Science Advances. 2017
悪性黒色腫	<input type="checkbox"/> PLoS One. 2015 <input type="checkbox"/> Cancer Biol Ther. 2015	代謝 (糖尿病、肥満)	<input type="checkbox"/> Br J Pharmacol 2016 <input type="checkbox"/> Oncotarget 2017 <input type="checkbox"/> Hepatol Commun 2018 <input type="checkbox"/> Front Pharmacol 2020 <input type="checkbox"/> Mol Med Rep 2020 <input type="checkbox"/> Science Reports 2021 <input type="checkbox"/> Obesity 2021
肺 (肺気腫、 慢性閉塞性 肺疾患)	<input type="checkbox"/> Arterioscler Thromb Vasc Biol 2008 <input type="checkbox"/> Am J Respir Cell Mol Biol 2012 <input type="checkbox"/> Proc Natl Acad Sci USA. 2014 <input type="checkbox"/> PLoS One 2015 <input type="checkbox"/> Am J Physiol Lung Cell Mol Physiol 2016 <input type="checkbox"/> Am J Respir Cell Mol Bio 2020 <input type="checkbox"/> Environ Pollut 2021	骨・関節 (骨粗鬆症)	<input type="checkbox"/> FEBS Open Bio 2018 <input type="checkbox"/> BBRC 2021
		脳 (アルツハイマー病)	<input type="checkbox"/> PLoS One 2015 <input type="checkbox"/> J Alzheimers Dis 2018 <input type="checkbox"/> Psychopharmacology (Berl) 2023
		腎 (慢性腎臓病)	<input type="checkbox"/> Arterioscler Thromb Vasc Biol. 2013 <input type="checkbox"/> PLoS One 2016

(※3) Senolytic drug

がん化を促進する事なく老化関連疾患を抑制することをsenolyticsと言い、その作用を有する医薬品をsenolytic drugと言います。老化 (senescence) と対抗 (lytics) を組み合わせた言葉で、「老化防止」を意味します。

(※4) セミファイナル臨床試験

50歳以上の少数例（20名以内）を対象とし、1～2ヶ月間の短期間の治療介入効果を評価する臨床研究となります。介入効果に加えて、安全性と被験者保護の対応、認定臨床研究審査委員会（CRB, Certified Review Board）の承認、患者登録の実現性、データの収集・管理・提出能力などを総合的に評価します。

(※5) ファイナル臨床試験

50歳以上の100名程度（200名以内）を対象とし、1年間の治療介入効果を評価する計4年間のクロスオーバー

対象臨床研究となります。対照群と比較して、治療介入群が設定された3つの評価機能（筋肉、認知、免疫）すべてにおいて、少なくとも10年以上の機能改善を実証することを目的とします。

(※6) OTC医薬品

医師に処方してもらった「医療用医薬品」ではなく、薬局やドラッグストアなどで処方箋なしで購入できる「要指導医薬品」と「一般用医薬品」のことをいいます。要指導医薬品は、OTC医薬品として初めて市場に登場したもので慎重に販売する必要があることから、薬剤師が当該医薬品に関する説明を行うことが義務付けられています（インターネット等での販売は難しい）。要指導医薬品以外のOTC医薬品を一般用医薬品といいます（分類によっては薬剤師の説明が必要）。

(※7) 細胞の老化 (Senescence)

生物の細胞は、細胞老化と呼ばれる現象のために、無制限に増殖することはできません。この現象には、遺伝子のテロメア長の短縮、p53などの細胞老化因子が関与しています。老化した細胞は、p53に加えて、PAI-1の発現が極めて高いことが分かっています。p53やPAI-1を抑制することで、細胞老化の現象は阻害できることが明らかになりました。

(※8) テロメア長

テロメアは染色体の末端に存在する構造で、細胞分裂のたびに短縮することが知られています。テロメア長は細胞の寿命や老化と密接に関連しており、その維持は健康や加齢に伴う疾患の予防に重要な役割を果たします。

(※9) 老化バイオマーカー

老化細胞のバイオマーカーとして、細胞周期調節因子 (p16ink4a, p21, p53, p16, IGFBP3)、老化関連β-ガラクトシダーゼ (SA-β-gal) 染色、IL-6等インターロイキンなどの細胞老化随伴分泌現象 (SASP: senescence-associated secretory phenotype)、DNA損傷応答などが解析されます。当社の開発したPAI-1阻害薬は、これら老化バイオマーカーを改善することが国外の研究から報告されています (Oncotarget 2016, Cell Death and Disease 2022)。

(※10) ハッチンソン-ギルフォード症候群

1886年にJonathan Hutchinsonと1897年にHasting Gilfordが報告したことから命名された疾患です。遺伝性早老症の中でも特に症状が重い疾患で、動脈硬化による脳や心臓の重篤な血管障害が10代で起こることが多く、平均寿命は14.6歳と報告されています。

(※11) klothoマウス

抗老化遺伝子klothoの発現が低下または欠損した遺伝子改変マウスで、ヒトの早老症に類似した老化現象を示します。

(※12) アーミッシュ

アメリカ合衆国の中西部などに居住する集団であり、移民当時の生活様式を保持し、農耕や牧畜によって自給自足の生活をしています。

(i) RS5441 (PAI-1阻害薬) 男性型脱毛症及び加齢性脱毛症外用薬

当社は、2016年10月に皮膚科疾患用途におけるRS5441の独占的権利をエイリオン社に許諾しました。これまでに2023年4月及び6月にエイリオン社が行ったオプション権の対価を受領しましたが、2024年7月から同社は第I相試験を開始したため、2024年7月に新たにマイルストーンとして10万米ドルを受領しました。第I相臨床試験に先駆けて実施された非臨床試験では、男性型脱毛症患者の頭皮組織移植片60検体が5%溶液ET-02 (RS5441) に暴露されました。ET-02による治療4ヶ月目の発毛率は、同じ実験移植モデルを用いた標準治療薬ミノキシジル(N=103)による発毛率の4倍高いという結果が得られました。非臨床試験成績を踏まえて、2024年7月1日、外用薬ET-02 (RS5441) の男性型脱毛症(加齢性脱毛症)治療に対する安全性と有効性を評価する第I相臨床試験が開始されました。この二重盲検プラセボ対照試験は、プラセボ、ET-02の1.25%または5%溶液のいずれかで構成される二重盲検プラセボ対照試験を米国の3つの医療機関、合計24人の被験者で実施しました(1日1回の外用、28日間投与)。その結果、ET-02 (RS5441) は安全で、良好な耐容性を示し、高用量の5%ET-02群で有意な反応が観察されました。5%ET-02群は、5週目の終了時点において、プラセボ群と比較して非軟毛(または正常)の毛数が6倍に増加しました。1か月の治療後、5%ET-02は、男性型脱毛症の治療薬であるミノキシジルの別の臨床試験で測定された4か月の治療後の局所ミノキシジルよりも多くの非軟毛の成長を示し、実質的に変化のなかったプラセボ群と比較し

て、非軟毛の毛髪の太さを約10ポイント改善しました。この第Ⅰ相臨床試験の結果は、非臨床試験で確認された5%ET-02の有効性を実証しています。ET-02(RS5441)の安全性と有効性を確認することを目的に今後、第Ⅱ相臨床試験(N=150)を開始する予定です。2026年3月期に第Ⅱ相試験における最初の患者登録が行われた際に20万米ドルのマイルストーンを受領し、その後も試験の進捗によってマイルストーンに応じて一時金を受領する予定です。また、将来的にET-02が商業化された場合にはエイリオン社からロイヤリティを受領する予定です。なお、特許期間満了(2029年3月31日)後も一定期間ロイヤリティが受領できる契約となっております。

b. RS8001(ピリドキサミン)

(a) 月経前症候群(PMS)及び月経前不快気分障害(PMDD)治療薬

PMS/PMDDに対するRS8001の第Ⅱ相医師主導治験を、AMED「医療研究開発革新基盤創生事業(CiCLE)(当社が代表機関)」として、近畿大学、東北大学、東京科学大学、東京女子医科大学と共同で実施しました(プラセボリードイン方式(※1)プラセボ対照二重盲検3群比較試験、目標症例数105例、2023年12月終了)。

精神領域における医薬品開発と同様に、本治験における最大の課題はプラセボ効果の影響です。そこで、プラセボ効果を排除するために、プラセボリードインという試験デザインを採用しました。当初、COVID-19拡大の影響により患者来院数が減少したため、症例登録促進を目的として、2021年度に新たに2施設を追加したほか、院内ポスターや啓発用の冊子の作成、治験調整医師による薬剤師対象Webセミナーを実施しました。2021年9月にはAMEDによる中間評価の結果、本治験支援の継続が承認されました。また2022年7月には、AMEDによる第2回中間評価が行われ、治験継続の判断とともに、症例登録加速のための支援を受けられることが決定しました。これを受けて、2022年11月に治験実施施設を3施設追加するとともに、ボランティアパネル(※2)の活用、治験責任医師等による公開講座の開催、症例登録加速のための全体会議の開催等を対応してきました。その結果、2023年7月までに近畿大学、東北大学、東京科学大学、東京女子医科大学と民間5施設で434名の同意を取得し、最終的に2023年10月末までに目標症例数を超える120例の本登録を行い、2024年2月には問題となる有害事象等を生じることなく治験を終了し、2024年6月に治験総括報告書が纏められました。

有害事象及び副作用ともに、本剤低用量群及び本剤高用量群に、特に多く発現したものはなく、本剤の安全性に問題はありませんでした。有効性に関しては、「最終評価時点における黄体期後期のDRSP negative mood(※3)の総和の月経周期3周期目からの変化量」を主要評価項目としましたが、本剤低用量群、本剤高容量群、プラセボ群で、統計的な有意差は認められませんでした。副次評価項目である「DRSP Negative mood score及びDRSP総和のVisit3からの変化量(絶対値)の平均値」はプラセボ群に比べて低用量群、高用量群の順で大きく、また同じく副次評価項目である「黄体期HADS(※4)のVisit3からの不安尺度合計点の変化量」においても実薬群で低下する傾向がみられましたが、いずれも統計的な有意差は認められませんでした。

プラセボリードインという試験デザインを採用しましたが、本治験では被験者間のばらつきが大きく統計的有意差は認められませんでした。ばらつきの原因として、評価指標が検査値などの客観的な数値ではなくインタビューフォームという主観的な評価であったことや、PMS/PMDDの疾患は、幅広い対象患者を含んでいる可能性があり、患者集団の不均一差が影響していたことが考えられます。有意差を出すための実証試験はさらに大規模な治験になるため、これ以上の開発は自社では困難と判断しました。

(※1) プラセボリードイン方式：プラセボには有効成分は含まれていませんが、心理的な効果で病気の症状が改善することがあります(プラセボ効果)。そこで、実薬投与の前に一定期間プラセボを服用していただき、プラセボ効果の大きな被験者は試験に参加していただかない試験デザインを採用しています。

(※2) ボランティアパネル：治験支援企業・団体が運営する治験参加希望者の登録システムです。

(※3) DRSP negative mood：DRSPはDaily Records of Severity of Problemsの略です。PMSやPMDDは血液検査や画像検査での異常がありませんので、症状と月経周期との関連を観察することしか診断の手立てがありません。そこで、毎日自分の症状と月経周期を記録してその記録を医師が確認することが、正確な診断には必要です。DRSPは臨床試験でのPMSの重症度尺度としても、最も広く使用されています。21項目のPMS症状と、それによる日常生活への支障を問う3項目の、計24項目から成り、それぞれに1(全く無い)～6(非常に強い)までの6段階を記載します。DRSP negative moodは、DRSPの中でもコア症状である、抑うつ、不安、怒り、興奮などの総和です。

(※4) HADS：HADSはHospital Anxiety and Depression Scaleの略で、患者の不安と抑うつを評価する質問票に

なります。14の設問に0～3点で回答し、不安と抑うつそれぞれの合計点を算出します。合計点が高いほど不安と抑うつが強いことを示します。

(b) 更年期障害治療薬

2021年12月に東京科学大学と共同研究契約を締結し、更年期障害の2大症状（ホットフラッシュ（※）とうつ）の治療薬としてRS8001の臨床研究を準備してきました。2023年3月にAMED「女性の健康の包括的支援実用化研究事業（代表機関：東京科学大学、当社は協力機関）」に採択され、東京科学大学などで3年間の臨床研究が開始されました。本臨床研究では、プラセボ効果をできる限り排除する目的でプラセボリードイン方式を採用した二重盲検法（各群25名）で実施しています。

（※）ホットフラッシュ：更年期障害の代表的な症状として上半身ののぼせ、ほてり、発汗等が起こります。

c. RS9001（ディスプレイザブル極細内視鏡）

腹膜透析は透析液を注入するチューブを常に腹膜に挿入されていますが、当社は、この細いチューブを通して挿入し、開腹手術にも腹腔鏡にもよらず非侵襲的に腹腔内を観察する極細内視鏡（径1mm程度）を東北大学等複数の大学と共同開発しました。

2022年8月にはファイバースコープ（※1）がPMDAに承認申請され、同年12月に厚生労働省から薬事承認されました。本製品の詳細は、以下のとおりです。

- ・ 承認番号：30400BZX00294000
- ・ 一般的名称：軟性腹腔鏡
- ・ 販売名：経カテーテル腹腔鏡 PD VIEW
- ・ 類別コード：器25

2022年9月に株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルと附属品であるガイドカテーテル（※2）作成を含めた医療機器開発に関する共同研究契約を締結しました。ディスプレイザブル極細内視鏡については、2020年5月にバクスター社とライセンス契約を締結しておりましたが、2024年5月にバクスター社とのライセンス契約を解約し、新たに株式会社ハイレックスメディカルとライセンス契約を締結しました。ガイドカテーテルとファイバースコープを合わせて2025年度に薬事申請する予定です。

（※1）ファイバースコープ（使い捨て）：ディスプレイザブル極細内視鏡の本体です。先端部は径1mm程度で、腹部に留置されているチューブの中を通ります。

（※2）ガイドカテーテル（使い捨て）：ファイバースコープと組み合わせて使用することでファイバースコープの先端部分を自由に動かすことができます。ガイドカテーテルを使用しなくても、ファイバースコープのみで腹膜の状態を観察することが可能ですが、使用することで操作性が向上します。

d. AIを活用したプログラム医療機器の開発

(a) RSAI01（呼吸機能検査診断プログラム医療機器）

呼吸器疾患や呼吸機能の検査の中でスパイロメトリー（※）が最も重要ですが、その普及は進んでいません。被験者（患者）の協力（努力呼吸）が必要である点に加えて、正しく検査が行えたかどうかを判定し、かつ出力された結果（フローボリューム曲線）を解釈することが非専門医には難しいためです。非専門医でも簡便に結果を解釈できるシステムの開発は、呼吸器疾患を診断し、早期治療を行う上で重要な医療課題と考えられます。フローボリューム曲線を解釈するAIを、京都大学及びNESと共同で開発しました。約1,000症例（2,500データ）の医療データを取得し、実用化モデルの開発を完了しました。現在は、チェスト株式会社を中心となって臨床開発に向けた準備を進めています。

2020年7月にスパイロメトリーのリーディングカンパニーであるチェスト株式会社と共同開発及び事業化に関する契約（ライセンス契約）を締結し一時金を受領しました。また、2023年6月には事業化段階移行に合意し、対価としてマイルストーンを受領し、2025年2月には対象地域拡大（国際展開）に係るオプション権行使に伴い一時金を受領しました。

(※) スパイロメトリー：呼吸機能生理検査で、被験者が吐き出す息の量と吐き出す時間を測定します。慢性閉塞性肺疾患（COPD）及びその他の肺の病気の診断に重要な検査です。

(b) RSAI02（維持血液透析医療支援プログラム医療機器）

慢性腎不全患者は、廃絶した腎臓の代わりに除水と老廃物の除去を行うために週3回、生涯にわたって血液透析を受けます。除水不足は心不全、高血圧等心肺機能に障害を与える一方、過度な除水は透析中の低血圧を生じ、気分不良、意識消失といった有害事象をもたらします。不適切な除水量の設定により除水不足や過除水が生じ有害事象が発生すると医療従事者は患者対応に追われ、大きな負担となります。安全安心な血液透析を実現するために、適切な目標総除水量を予測するAI（Dual-Channel Combiner Network、DCCN）を、東北大学及びNECと共同で開発しています。聖路加国際病院や民間透析医療施設から取得した透析回数72.5万件の透析記録（患者情報、透析情報、検査情報）を学習させ、患者の過去の5回の透析記録及び透析当日の透析前データから、医師が経験的に設定した目標総除水量と7-8%程度の平均絶対誤差率（mean absolute percentage error、MAPE）で目標総除水量を予測するAIが開発できています。

2023年4月にはPMDA開発前相談を終了し、2024年1月に臨床性能試験実施のためのPMDAプロトコール相談を完了しました。2024年10月から薬事承認申請のための臨床性能試験を実施しており、現在までに目標症例数である150症例のデータを取得し、今後主要評価項目の達成の有無を確認します。本AIプログラム医療機器の開発は、2023年2月にAMED「医療機器開発推進研究事業（代表機関：東北大学、当社は協力機関）」に採択されました。2022年10月に基本となる知的財産権を出願し、2023年5月に国際出願を行いました。また、2024年1月には新たな特許を追加出願しました。なお、当社のAIを活用した維持血液透析医療支援のプログラム医療機器に関する取材記事が、2024年3月に科学誌『Nature』に掲載されました。

2021年5月に本AIプログラム医療機器（ソフトウェア）の開発に関してニプロ株式会社と共同研究契約を締結し、2022年5月には契約期間延長に伴う契約一時金を受領しました。開発段階が臨床性能試験の実施まで進捗したことから、2024年3月にニプロ株式会社と共同開発契約を新たに締結し契約一時金を受領し、さらに2026年3月まで共同開発契約期間を延長しました。さらに、血液透析における除水量や血流量の調節を制御する血液透析機器搭載型AIの開発に着手し、2023年12月に東レ・メディカル株式会社と共同開発契約を締結しました。

(c) RSAI03（糖尿病治療支援プログラム医療機器）

糖尿病の血糖値を厳格にコントロールし、糖尿病合併症を予防するためにはインスリン注射治療が必要です。しかし、インスリンの安全な用量域は狭く、過剰投与で低血糖を生じるために、患者ごとに最適な種類と投与量を選定する必要があります。一方、糖尿病専門医は医師全体の2%もおらず、地理的にも偏在しているため、現状では糖尿病患者の主治医が糖尿病専門医であるとは限らず、むしろ非専門医に受診することが多いです。非専門医にも専門医レベルのインスリン治療を実行できるよう支援するAI（Skill Acquisition Learning、SAiL：スキル獲得学習）を、東北大学及びNECと共同で開発しています。東北大学病院に入院する約1,000名（約1,080,000臨床パラメータ）の患者データに基づく学習が終了し、専門医の処方するインスリンの投与量から2単位程度の誤差で予測するAIを開発できています。現在、NESと共同で、本AIを医療機関で活用するためのシステム開発を進めており、デモシステムの開発を完了しました。

2022年12月にはPMDA開発前相談を終了し、2023年5月に実施したPMDAプロトコール相談の助言に従い、臨床性能試験のための予備的な試験を実施しました。予備試験の結果を基に、2024年2月にPMDAプロトコール相談を終了し、試験実施計画書が確定し、同年8月に倫理審査委員会の承諾を得て、検証的臨床性能試験を開始しました。

本臨床試験は、東北大学病院、山口大学病院、仙台市立病院、大崎市民病院、みやぎ県南中核病院、東北ろうさい病院の多施設共同検証的臨床性能試験として実施し、血糖コントロールの目的で入院時に糖尿病専門医によるインスリン治療を受けた2型糖尿病患者の臨床データ130例を取得して、実際に専門医が治療した結果と糖尿病治療支援AIが予測する結果の差分を用いて、専門医に対する非劣性を証明する試験です。試験の結果、主要評価項目である糖尿病専門医との誤差を評価しました。正解率（Correct rate）は、約85%であり、当初設定していた目標値である80%を5%上回る結果であることから、専門医に対するAI予測の非劣性（同等）が証明され（POC達成）、2025年3月に総括報告書を纏めました。

正解率（Correct rate）：臨床性能試験主要評価

対象者数	116例
正解率(平均)	85.46
平均値の信頼区間	[83.59, 87.34]

本試験結果から、薬事承認の申請が可能となり、不足する糖尿病専門医によってインスリン治療が困難な地域の患者にも、専門医と同等なインスリン治療が提供できます。

本AIプログラム医療機器の開発は、2022年4月にAMED「医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）（当社が代表機関）」に採択されました。2022年6月に東北大学と共同で基本となる知的財産権を出願し、2023年4月には国際出願を行いました。なお、当社のAIを活用した糖尿病治療支援のプログラム医療機器に関する取材記事が、2024年3月に科学誌『Nature』に掲載されました。

(d) RSAI04（嚥下機能低下診断プログラム医療機器）

加齢に伴い口腔機能が低下しますが、その状態（オーラルフレイル）を放置すると摂食障害や構音（発話）障害等多くの身体的、社会的障害、さらには全身性の筋肉虚弱（フレイル）につながるため、早期の診断と適切な処置が重要です。高齢社会において口腔機能低下のひとつである摂食嚥下障害は増加し、高齢者の主な死因とされる肺炎の約7割が誤嚥によるとの報告もあります。誤嚥性肺炎の予防には嚥下機能低下の早期発見とリハビリテーション等の治療介入が重要ですが、現在では、嚥下内視鏡検査、嚥下透視検査方法等患者負担の大きい嚥下評価法しかありません。嚥下と会話で使用する器官は舌や口腔・咽頭等共通部分が多く、会話から嚥下機能を評価できる可能性に着目し、嚥下機能障害を会話時の音声データから評価可能なAIを開発しています。東北大学の複数の診療科（耳鼻咽喉科、歯科、医工学部リハビリテーション科）及びNECと共同で、東北大学病院嚥下治療センターに受診する患者の話す音の全周波数を時系列データの分析に特化したAIエンジン（時系列モデルフリー分析）で解析することで、健常者の音声のベースライン（性差、年齢差、個人差等）を確認し、健常者の発音と患者の発音の違いを検出することで、嚥下機能の低下を診断するAIが開発できています。今後、嚥下機能低下を有する高齢者データで学習させることで、実用化に向け開発を進めます。2023年12月にPMDA開発前相談を終了、今後、臨床性能試験実施のためのPMDAプロトコール相談を予定しています。2023年3月に東北大学と共同で基本となる知的財産権を出願しました。また、2024年3月には新たな特許を追加出願しました。

上記の実用化に向けたプログラム医療機器の開発研究に加えて、下記の複数の探索的な研究開発を進めています。

(e) 探索研究（乳がん病理診断プログラム医療機器）

乳がんは日本人女性のがんの中で最も患者数が多く、生涯に乳がんを患う日本人女性は11人に1人とされています。しこりや画像診断等で乳がんが疑われた場合、最終診断は病理診断ですが、診断には経験を積んだ病理医が必要です。当社は東北大学と共同で、病理画像から乳がんの病変部を検出するAIを開発しています。現在、探索研究段階では、検出モデルを3クラス（良性、非浸潤がん、浸潤がん）または2クラス（良性、悪性）で分類し、それぞれ88.3%と90.5%での診断精度を達成しました（科学誌『Journal of Pathology Informatics』に掲載）。今後、乳がん領域では「術中迅速病理検体画像」を用いたAI診断にも取り組む予定です。

(f) 探索研究（心臓植込み型電気デバイス患者における不整脈・心不全発症予測プログラム医療機器）

心不全患者には植込み型除細動器（ICD）、両心室ペースメーカ（CRT-P）など心臓植込み型電気デバイスが広く使用されます。これら心臓植込み型電気デバイスを活用することで、自宅にいながら、刻々と変化する生体情報の経時的な遠隔モニタリングが可能となります。当社は、東北大学と共同で、心臓植込み型電気デバイス患者の遠隔モニタリング情報を活用し、心不全及び致死性不整脈の発症を事前に予測するAIを開発しています。

(g) 探索研究（人工心臓患者における血栓発生予測プログラム医療機器）

植込み型補助人工心臓は末期心不全患者の生命維持には欠かせない治療ですが、血栓など合併症が課題です。当社は、株式会社ハイレックスメディカル及び東北大学と共同で補助人工心臓の血栓発生を予測するAIの開発に取り

組んでいます。2022年9月に本AIの開発等に関して株式会社ハイレックスコーポレーション及び株式会社ハイレックスメディカルとの共同研究契約を締結しました。

e. 診断薬：血中フェニルアラニン測定キット

フェニルケトン尿症は、適切な治療を行わないと知能発達遅延等の重篤な症状が出現します。1977年に生後マス・スクリーニング検査が実施され、ほぼ全ての患児が早期に発見されるようになりました。フェニルケトン尿症の治療には、フェニルアラニンを制限するための食事療法を正しく行う必要があります、定期的な医療機関での検査が必要ですが、数か月に1度の採血では、きめ細やかな食事管理ができません。自宅で簡便かつ正確に血中フェニルアラニン濃度を測定するシステムを、東北大学と共同で開発しています。糖尿病患者での自己血糖管理のように、家庭でいつでも自己測定が可能になれば、フェニルケトン尿症を有する患者のきめ細やかな食事管理が実現できます。2021年5月には診断薬に関する特許を東北大学と共同で出願し、同年6月にはPMDA相談を行いました。2023年5月に本研究内容が科学誌『Molecular Genetics and Metabolism Reports』に掲載されました。

(5) 今後の見通し

次事業年度（2025年4月1日から2026年3月31日）の事業収益は、AMED採択プロジェクトに係る受託研究収入やマイルストーン収入などの計上などにより、113百万円を見込んでおります。

また、事業費用については、慢性骨髄性白血病（CML）・悪性黒色腫に係る第Ⅲ相医師主導治験費用、皮膚血管肉腫・非小細胞肺癌・全身性強皮症に伴う間質性肺疾患に係る第Ⅱ相医師主導治験費用、抗加齢作用を評価する臨床研究などの研究開発費に加え、人件費等の一般管理費の合計で447百万円を見込んでおります。

以上により、通期の業績見通しは、事業収益113百万円（前事業年度比14.1%の減少）、営業損失397百万円（前事業年度は178百万円の損失）、経常損失360百万円（前事業年度は178百万円の損失）、当期純損失362百万円（前事業年度は113百万円の利益）としております。

なお、当社パイプラインには、現在、薬事承認済のディスプレイ極細内視鏡や治験・開発フェーズが後期段階にあるパイプラインが複数存在しており、今後、治験・開発や導出先企業との交渉が順調に進んだ場合、多額の契約一時金やマイルストーン収入などを計上する可能性があります。一方で、治験・開発の進捗や企業との交渉については不確実性が存在するため、上記見通しには現段階で期待される全ての収益を計上しておりません。未計上となっている収益については、今後、収益計上が確実になった段階で適時に見通しを明らかにしていく予定です。

参考：創薬系バイオベンチャー企業について（東京証券取引所）

<https://www.jpx.co.jp/listing/others/risk-info/tvdivq0000001rss-att/cg27su00000032aa.pdf>

2. 会計基準の選択に関する基本的な考え方

当社は、財務諸表の期間比較可能性及び企業間の比較可能性を考慮し、当面は、日本基準で財務諸表を作成する方針です。なお、国際会計基準の適用については、国内外の諸情勢を考慮の上、適切に対応していく方針です。

3. 財務諸表及び主な注記

(1) 貸借対照表

(単位：千円)

	前事業年度 (2024年3月31日)	当事業年度 (2025年3月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	2,026,890	1,799,816
売掛金	4,400	—
前払費用	29,364	42,409
未収入金	63	17,745
その他	25,754	11,280
流動資産合計	2,086,473	1,871,252
固定資産		
投資その他の資産		
その他	2,360	110
投資その他の資産合計	2,360	110
固定資産合計	2,360	110
資産合計	2,088,833	1,871,362

(単位：千円)

	前事業年度 (2024年3月31日)	当事業年度 (2025年3月31日)
負債の部		
流動負債		
未払金	114,762	104,648
未払費用	2,410	1,701
未払法人税等	8,661	39,963
預り金	174	4,897
流動負債合計	126,008	151,210
固定負債		
長期借入金	356,100	—
固定負債合計	356,100	—
負債合計	482,109	151,210
純資産の部		
株主資本		
資本金	1,036,808	1,036,808
資本剰余金		
資本準備金	1,457,233	1,457,233
その他資本剰余金	61,162	61,162
資本剰余金合計	1,518,395	1,518,395
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△948,479	△835,051
利益剰余金合計	△948,479	△835,051
株主資本合計	1,606,724	1,720,151
純資産合計	1,606,724	1,720,151
負債純資産合計	2,088,833	1,871,362

(2) 損益計算書

(単位：千円)

	前事業年度 (自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)	当事業年度 (自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)
事業収益	194,165	132,693
事業原価	28,521	3,747
売上総利益	165,643	128,946
事業費用	417,979	307,774
営業損失(△)	△252,335	△178,827
営業外収益		
受取利息	24	924
為替差益	394	—
助成金収入	—	160
雑収入	40	7
営業外収益合計	460	1,092
営業外費用		
為替差損	—	1,228
雑損失	—	24
営業外費用合計	—	1,252
経常損失(△)	△251,875	△178,987
特別利益		
解約金収入	—	20,000
債務免除益	—	303,918
特別利益合計	—	323,918
特別損失		
減損損失	4,502	1,166
特別損失合計	4,502	1,166
税引前当期純利益又は税引前当期純損失(△)	△256,377	143,763
法人税、住民税及び事業税	1,957	30,336
法人税等合計	1,957	30,336
当期純利益又は当期純損失(△)	△258,335	113,427

(3) 株主資本等変動計算書

前事業年度(自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)

(単位：千円)

	株主資本							純資産合計
	資本金	資本剰余金			利益剰余金		株主資本合計	
		資本準備金	その他 資本剰余金	資本剰余金 合計	その他利益 剰余金 繰越利益 剰余金	利益剰余金 合計		
当期首残高	1,036,808	1,457,233	61,162	1,518,395	△690,144	△690,144	1,865,059	1,865,059
当期変動額								
当期純損失(△)					△258,335	△258,335	△258,335	△258,335
株主資本以外の項目 の当期変動額(純額)								-
当期変動額合計	-	-	-	-	△258,335	△258,335	△258,335	△258,335
当期末残高	1,036,808	1,457,233	61,162	1,518,395	△948,479	△948,479	1,606,724	1,606,724

当事業年度(自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)

(単位：千円)

	株主資本							純資産合計
	資本金	資本剰余金			利益剰余金		株主資本合計	
		資本準備金	その他 資本剰余金	資本剰余金 合計	その他利益 剰余金 繰越利益 剰余金	利益剰余金 合計		
当期首残高	1,036,808	1,457,233	61,162	1,518,395	△948,479	△948,479	1,606,724	1,606,724
当期変動額								
当期純利益					113,427	113,427	113,427	113,427
株主資本以外の項目 の当期変動額(純額)								-
当期変動額合計	-	-	-	-	113,427	113,427	113,427	113,427
当期末残高	1,036,808	1,457,233	61,162	1,518,395	△835,051	△835,051	1,720,151	1,720,151

(4) キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前事業年度 (自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)	当事業年度 (自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税引前当期純利益又は税引前当期純損失(△)	△256,377	143,763
減価償却費	1,837	62
減損損失	4,502	1,166
受取利息	△24	△924
助成金収入	—	△160
解約金収入	—	△20,000
債務免除益	—	△303,918
売上債権の増減額(△は増加)	△4,400	4,400
前払費用の増減額(△は増加)	△179	△13,045
未収入金の増減額(△は増加)	△63	△17,682
未払金の増減額(△は減少)	25,750	△10,114
未払費用の増減額(△は減少)	338	△709
その他の資産の増減額(△は増加)	213	△429
その他の負債の増減額(△は減少)	△238	7,784
その他	54	14,474
小計	△228,586	△195,331
利息の受取額	24	924
法人税等の支払額	△1,957	△2,095
助成金の受取額	—	160
解約金の受取額	—	20,000
営業活動によるキャッシュ・フロー	△230,519	△176,342
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	△1,577	△799
定期預金の払戻による収入	—	380,697
差入保証金の回収による収入	—	2,250
その他の収入	10	—
投資活動によるキャッシュ・フロー	△1,567	382,147
財務活動によるキャッシュ・フロー		
長期借入れによる収入	46,500	9,476
長期借入金の返済による支出	—	△61,658
財務活動によるキャッシュ・フロー	46,500	△52,182
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△185,586	153,622
現金及び現金同等物の期首残高	1,831,780	1,646,193
現金及び現金同等物の期末残高	1,646,193	1,799,816

(5) 財務諸表に関する注記事項

(継続企業の前提に関する注記)

該当事項はありません。

(収益認識関係)

顧客との契約から生じる収益を分解した情報

前事業年度(自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)

(単位:千円)

事業収益の種類	金額
アップフロント収入及びマイルストーン収入	103,499
ロイヤリティ収入	—
受託研究収入	90,666
顧客との契約から生じる収益	194,165
その他の収益	—
外部顧客への売上高	194,165

当事業年度(自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)

(単位:千円)

事業収益の種類	金額
アップフロント収入及びマイルストーン収入	70,749
ロイヤリティ収入	—
受託研究収入	61,944
顧客との契約から生じる収益	132,693
その他の収益	—
外部顧客への売上高	132,693

(セグメント情報等)

当社の事業は、医薬品・医療機器などの開発・販売等のみの単一セグメントであり重要性が乏しいため、セグメント情報の記載を省略しております。

(持分法損益等)

該当事項はありません。

(1株当たり情報)

	前事業年度 (自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)	当事業年度 (自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)
1株当たり純資産額	126円40銭	135円32銭
1株当たり当期純利益又は1株当たり 当期純損失(△)	△20円32銭	8円92銭

- (注) 1. 2024年3月期の潜在株式調整後1株当たり当期純利益については、1株当たり当期純損失であり、また、希薄化効果を有する潜在株式が存在しないため記載しておりません。
2. 2025年3月期の潜在株式調整後1株当たり当期純利益については、希薄化効果を有する潜在株式が存在しないため記載しておりません。
3. 1株当たり当期純利益又は当期純損失(△)の算定上の基礎は、以下のとおりです。

項目	前事業年度 (自 2023年4月1日 至 2024年3月31日)	当事業年度 (自 2024年4月1日 至 2025年3月31日)
1株当たり当期純利益又は1株当たり 当期純損失(△)		
当期純利益又は当期純損失(△)(千円)	△258,335	113,427
普通株主に帰属しない金額 (千円)	—	—
普通株式に係る当期純利益又は 当期純損失(△)(千円)	△258,335	113,427
普通株式の期中平均株式数(株)	12,711,700	12,711,700
希薄化効果を有しないため、潜在株式 調整後1株当たり当期純利益金額の算 定に含めなかった潜在株式の概要	新株予約権3種類 (新株予約権の数33個)	新株予約権1種類 (新株予約権の数10個)

3. 1株当たり純資産額の算定上の基礎は、以下のとおりです。

項目	前事業年度 (2024年3月31日)	当事業年度 (2025年3月31日)
純資産の部の合計額(千円)	1,606,724	1,720,151
純資産の部の合計額から控除する 金額(千円)	—	—
普通株式に係る期末の純資産額 (千円)	1,606,724	1,720,151
1株当たり純資産額の算定に用いら れた期末の普通株式の数(株)	12,711,700	12,711,700

(重要な後発事象)

該当事項はありません。