2027年３月期　第２四半期（中間期）決算短信〔日本基準〕(非連結)

2026年11月11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.renascience.co.jp/
代　　表　　者（役職名） 代表取締役会長兼社長　　（氏名）宮田　敏男
問合せ先責任者（役職名） 執行役員（経営・企画）兼管理部長　（氏名）飯田　喜康　（TEL）022(727)5070

半期報告書提出予定日　　2026年11月11日　　配当支払開始予定日　　ー
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）

１．2027年３月期第２四半期（中間期）の業績（2026年４月１日～2026年９月30日）

（１）経営成績(累計)

（%表示は、対前年中間期増減率）

	事業収益		営業利益		経常利益		中間純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2027年３月期中間期	10	0.0	△161	ー	△154	ー	△154	ー
2026年３月期中間期	10	△82.1	△188	ー	△151	ー	△151	ー

	１株当たり中間純利益	潜在株式調整後１株当たり中間純利益
	円　銭	円　銭
2027年３月期中間期	△11.25	ー
2026年３月期中間期	△11.94	ー

（注）潜在株式調整後１株当たり中間純利益については、潜在株式は存在するものの、１株当たり中間純損失であるため、記載しておりません。

（２）財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2027年３月期中間期	3,261	3,167	96.7
2026年３月期	3,503	3,322	94.5

（参考）自己資本　2027年３月期中間期　3,155百万円　　2026年３月期　3,310百万円

２．配当の状況

	年間配当金				
	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
2026年３月期	ー	0.00	ー	0.00	0.00
2027年３月期	ー	0.00			
2027年３月期(予想)			ー	0.00	0.00

（注）直近に公表されている配当予想からの修正の有無　　：　無

３．2027年３月期の業績予想（2026年４月１日～2027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	43	△36.4	△585	ー	△547	ー	△548	ー	△39.81

（注）直近に公表されている業績予想からの修正の有無　　：　無

※　注記事項

（１）中間財務諸表の作成に特有の会計処理の適用　：　無

（２）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

（３）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）	2027年３月期中間期	13,776,900株	2026年３月期	13,776,900株
②　期末自己株式数	2027年３月期中間期	10株	2026年３月期	10株
③　期中平均株式数（中間期）	2027年３月期中間期	13,776,890株	2026年３月期中間期	12,711,700株

※　第２四半期（中間期）決算短信は公認会計士又は監査法人のレビューの対象外です。

※　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.14「１．当中間決算に関する定性的情報（４）業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご参照ください。

○添付資料の目次

１．当中間決算に関する定性的情報 …… 2
（１）経営成績に関する説明 …… 2
（２）財政状態に関する説明 …… 3
（３）研究開発活動に関する説明 …… 4
（４）業績予想などの将来予測情報に関する説明 ……14
２．中間財務諸表及び主な注記 ……15
（１）中間貸借対照表 ……15
（２）中間損益計算書 ……17
（３）中間キャッシュ・フロー計算書 ……18
（４）中間財務諸表に関する注記事項 ……19
（継続企業の前提に関する注記） ……19
（株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記） ……19
（セグメント情報等の注記） ……19

１．当中間決算に関する定性的情報

（１）経営成績に関する説明

当社は、医療現場における未充足ニーズに応える医薬品、医療機器及び人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器の研究開発を進めています。医薬品は研究開発期間が長く、開発リスクも相対的に高い一方、上市後には大きな収益機会が見込まれます。医療機器及びプログラム医療機器は、医薬品と比較して開発期間及び投資規模を抑えやすく、比較的早期の事業化が期待されます。当社は、これら複数のモダリティを組み合わせた事業ポートフォリオを構築することにより、リスク分散と中長期的な企業価値向上の両立を目指しています。

当中間会計期間においては、プラスミノーゲンアクチベーターインヒビター1（PAI-1）阻害薬RS5614を中心とするがん領域、抗加齢・長寿領域並びにAIを活用したプログラム医療機器の開発を重点領域として研究開発活動を継続しました。これらの重点領域では、国内外の大学・医療機関との連携を基盤に、基礎研究、非臨床試験、医師主導治験及び企業への導出を段階的に進めています。

がん領域では、慢性骨髄性白血病及び悪性黒色腫を対象とする第Ⅲ相試験を実施しています。希少がんにおける薬事承認取得を優先しつつ、肺がん、膵臓がんなど患者数の多いがん種への適応拡大を進めています。また、超高齢化社会を背景として、抗加齢・長寿領域を中長期的な成長領域と位置付けています。同領域では、特定臨床研究を実施し、生物学的年齢が平均２～３歳若返るなどの結果を得ました（2026年５月14日適時開示）。高い事業性が期待される同分野における医療事業の展開を見据え、当社第27回定時株主総会において、「医療機関の運営、医療機関の運営等に関する業務の受託その他の医療事業及び同事業に関連するコンサルティング業務」を会社の目的に明記するため、定款の一部変更を行いました。さらに、医療データとAI技術を活用したプログラム医療機器では、早期の事業化及び医療現場への実装に向けた取り組みを継続しています。

当社は、大学や多様な異業種企業との連携・協業を基盤としてオープンイノベーションを推進し、今後も効率的な研究開発を進めます。

当中間会計期間における主な進捗は以下のとおりです。

- □ **全身性強皮症に伴う間質性肺疾患（SSc-ILD）治療薬**：東北大学など計12施設と実施した第Ⅱ相試験では、主要評価項目の達成には至りませんでしたが、治療経過全体を踏まえた追加解析において、皮膚硬化の改善傾向が認められました（2026年４月10日適時開示）。
- □ **非小細胞肺がん治療薬**：広島大学など６医療機関と実施した第Ⅱ相試験の結果、比較的早期の治療ライン（３次治療）の患者において、より高い有効性が確認されました。これを受け、新たに後期第Ⅱ相試験として「初回標準治療である化学放射線療法と免疫チェックポイント阻害薬デュルバルマブによる地固め療法に対するPAI-1阻害薬（RS5614）併用療法の有効性と安全性を検討する第Ⅱ相医師主導治験」を開始しました（2026年４月24日適時開示）。本試験は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の令和８年度「臨床研究・治験推進研究事業」に採択されています（2026年３月９日適時開示）。
- □ **膵臓がん治療薬**：東北大学病院など３医療機関と共同で「遠隔転移を有する切除不能膵がん又は再発膵がんに対する第Ⅱ相試験」を開始しました（2026年５月12日適時開示）。
- □ **抗加齢研究**：東北大学病院、広島大学及び東海大学と共同で、ヒトでの臨床試験を実施しました（2025年８月18日適時開示）。本試験の結果、４ヶ月という比較的短い投与期間で、生物学的年齢が平均２～３歳若返り、免疫機能や再生機能が回復し、老化を促進する物質が減少するなど、全身の抗加齢作用を示唆する知見がヒトで確認されました。また、安全性についても重篤な副作用は認められませんでした（2026年５月14日適時開示）。この結果、XPRIZE Healthspanのファイナリスト適格候補として認定され、具体的な参加条件等について協議を重ねましたが、最終的に本コンペティションには参加しないことを決定しました（2026年８月11日適時開示）。
- □ **サウジアラビアにおけるRS5614の第Ⅰ相臨床試験**：サウジアラビア政府の医療研究機関である「キング・アブドラ国際医療研究センター（King Abdullah International Medical Research Center、KAIMRC）」との間で臨床試験契約（Clinical Trial Agreement）を締結しました（2026年７月21日適時開示）。
- □ **皮膚血管肉腫治療薬**：東北大学など７医療機関と実施した第Ⅱ相試験の結果、奏効率13.3%、病勢制御率86.7%、無増悪生存期間中央値4.0ヶ月、全生存期間中央値20.8ヶ月が得られ、国内前向き臨床試験JCOG1605にお

けるパゾパニブの結果を上回りました。安全性についても、治験薬との因果関係が認められる重篤な有害事象は発現せず、良好な忍容性が確認されました（2026年２月10日適時開示、2026年９月７日治験総括報告書確定）。また、2026年９月25日付で厚生労働大臣より希少疾病用医薬品の指定を受け（2026年９月25日適時開示）、薬事承認を目指す第Ⅲ相試験の実施に向けて、現在、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と協議を進めています。

□ **慢性骨髄性白血病の第Ⅲ相臨床試験**：東北大学など国内12の大学・医療機関と実施している「慢性期慢性骨髄性白血病に対するチロシンキナーゼ阻害薬併用時のRS5614の有効性を検証する第Ⅲ相医師主導治験」において、2026年９月29日に、登録された全患者57例への投与が完了しました（2026年９月29日適時開示）。今後、本試験の評価及びデータ解析の結果を治験総括報告書にまとめる予定です。

□ **悪性黒色腫の第Ⅲ相臨床試験**：東北大学病院など国内18医療機関と実施している「根治切除不能悪性黒色腫に対するニボルマブとRS5614併用の有効性・安全性を検証する第Ⅲ相ランダム化プラセボ対照二重盲検医師主導治験」において、目標症例数である124例の登録が2026年10月５日に完了しました（2026年10月５日適時開示）。今後、被験者の観察期間を経て、主要評価項目の評価及びデータ解析の結果を治験総括報告書に取りまとめる予定です。

（事業収益に関する実績）

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、その対価としてマイルストーン収入を計上しました。

以上の結果、当中間会計期間における事業収益は、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により10,000千円（前中間会計期間は事業収益10,000千円）となりました。また、営業損失は、慢性骨髄性白血病治療薬、悪性黒色腫治療薬、非小細胞肺がん治療薬、皮膚血管肉腫治療薬、膵臓がん治療薬、抗加齢作用を評価する臨床研究等に係る研究開発費76,282千円を含む事業費用169,823千円を計上したことにより161,406千円（前中間会計期間は営業損失188,439千円）、経常損失は、154,495千円（前中間会計期間は経常損失151,226千円）、中間純損失は、法人税、住民税及び事業税502千円を計上したことにより154,997千円（前中間会計期間は中間純損失151,728千円）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）財政状態に関する説明

①財政状態の状況

（資産）

当中間会計期間末の流動資産は、前事業年度末の3,503,153千円と比べて242,340千円減少し、3,260,812千円となりました。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209,081千円減少したことなどによるものです。

また、当中間会計期間末の固定資産は、前事業年度末の110千円と比べて470千円増加し、580千円となりました。これは主として業務用備品の購入により有形固定資産が470千円増加したことによるものです。

この結果、資産合計は、前事業年度末の3,503,263千円と比べて241,870千円減少し、3,261,392千円となりました。

（負債）

当中間会計期間末の流動負債は、前事業年度末の180,585千円と比べて86,872千円減少し、93,712千円となりました。これは主として、研究開発費などに係る未払金75,863千円が減少したことなどによるものです。

この結果、負債合計は、前事業年度末の180,585千円と比べて86,872千円減少し、93,712千円となりました。

（純資産）

当中間会計期間末の純資産は、前事業年度末の3,322,677千円と比べて154,997千円減少し、3,167,679千円となりました。これは中間純損失154,997千円を計上したことによるものです。

②キャッシュ・フローの状況

当中間会計期間末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3,402,705千円に比べ209,081千円減少し、3,193,623千円となりました。

当中間会計期間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）

当中間会計期間の営業活動資金の支出額は208,557千円（前中間会計期間は233,864千円の支出）となりました。これは主として、税引前中間純損失154,495千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）

当中間会計期間の投資活動に係る支出額は524千円(前中間会計期間は投資活動に係る収支はありません)となりました。これは主として、業務用備品の購入による524千円を計上したことによるものです。

（財務活動によるキャッシュ・フロー）

当中間会計期間の財務活動に係る収支はありません（前中間会計期間は財務活動に係る収支はありません）。

（３）研究開発活動に関する説明

当社は、医療現場における未充足ニーズに応える医薬品、医療機器及び人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器の研究開発を進めています。当中間会計期間においては、PAI-1阻害薬RS5614を中心とするがん領域、抗加齢・長寿領域を重点領域として位置付け、国内外の大学、医療機関、研究機関及び事業会社との連携を継続しました。

これらの重点領域では、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）、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）をはじめとするオープンイノベーション体制を基盤として、基礎研究、非臨床試験、医師主導治験及び企業への導出を段階的に進めています。これまでに医師主導治験で蓄積した経験、臨床現場とのネットワーク、公的研究費及び外部研究機関のリソースを活用することで、限られた経営資源のもとでも複数のパイプラインを並行して進める開発モデルを採用しています。

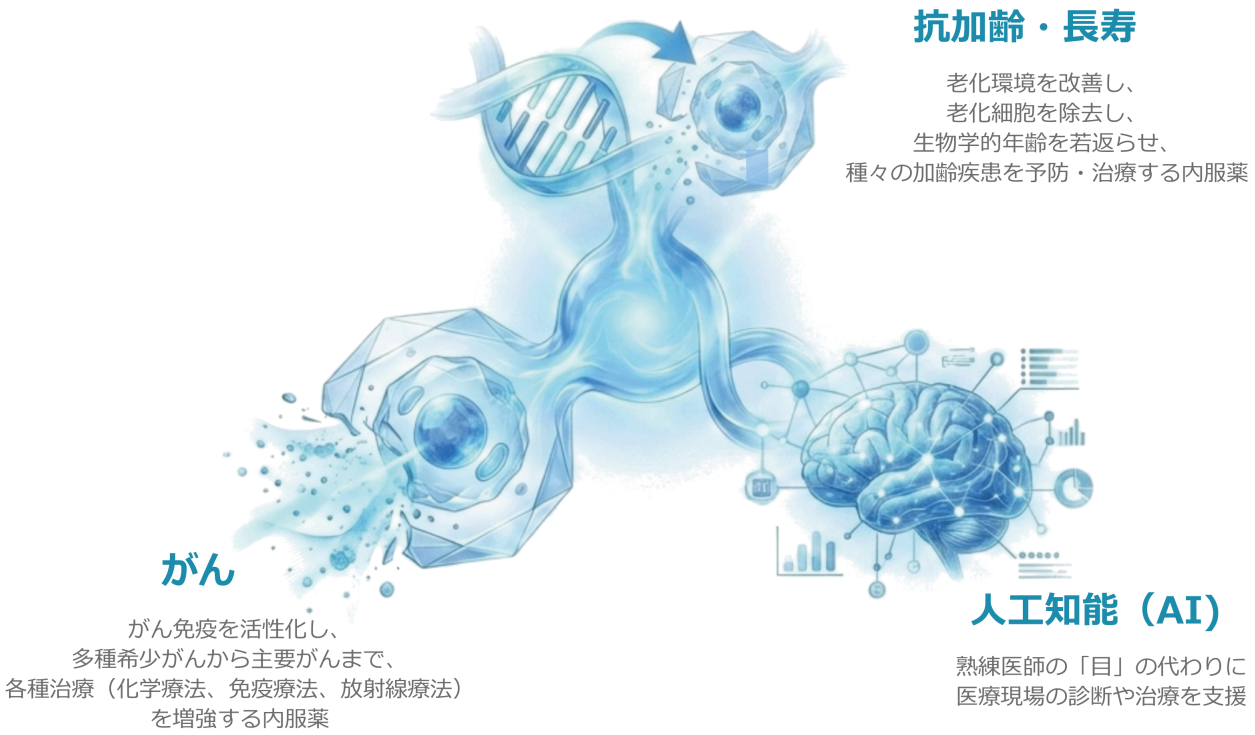
なお、当中間会計期間における研究開発費は76,282千円であり、当中間会計期間末の当社研究開発従事者数は２名（臨時雇用者を含む）です。

a. 研究開発活動の全体像

当社の研究開発は、①希少がんを中心とした医薬品の実用化、②抗加齢・長寿領域における新たな医療価値の創出、③医療データとAI技術を活用したプログラム医療機器の社会実装の３つを中核としています。医薬品領域では、経口投与が可能な低分子化合物であるPAI-1阻害薬RS5614を中心に、がん及び抗加齢・長寿の双方で開発を進めています。AIプログラム医療機器領域では、診断支援及び治療支援を通じて医療現場の効率化と医療の質の向上に貢献することを目指しています。

医薬品は研究開発期間が長く、臨床試験及び薬事承認に係るリスクも相対的に高いものの、上市後には大きな収益機会が見込まれます。一方、医療機器及びプログラム医療機器は、医薬品と比較して開発期間及び投資規模を抑えやすく、比較的早期の事業化が期待されます。当社は、これら複数のモダリティを組み合わせることで、短中期の収益機会と中長期の成長機会の双方を追求しています。

～ 多様なモダリティで生涯の健康に貢献するバイオテック企業 ～



b. がん領域

がん領域では、RS5614を中核パイプラインとして、まず悪性黒色腫、血管肉腫、慢性骨髄性白血病などの希少がんにおける薬事承認取得を目指し、そこで得られる臨床データ及び薬事上の知見を活用しながら、非小細胞肺がん、膵臓がん等の患者数の多いがん種への適応症の拡大を進めています。RS5614は、がん微小環境における免疫抑制、線維化、血栓形成等に関与するPAI-1を阻害することで、免疫チェックポイント阻害薬や既存化学療法との併用効果を高める可能性があります。

(a) 慢性骨髄性白血病（CML）治療薬

慢性骨髄性白血病は、骨髄内の「骨髄ニッチ」と呼ばれる部位に存在し、血液細胞の元となる細胞（造血幹細胞）に遺伝子変異が生じて発症する血液がんです。CMLに対する標準治療は、イマチニブなどの分子標的治療薬であるチロシンキナーゼ阻害薬（TKI）です。TKIの開発によりCML患者の生存率は大きく改善しました。TKIはCML細胞には作用しますが、CML細胞の元となる細胞（CML幹細胞）には作用しないことから、TKIを休薬するとCML細胞は再び増殖し、がんが再発します。そのため、CMLの治療には、長期にわたる高額なTKI治療の継続が必要です。

最近、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）が一定期間継続しているCML患者では、TKIを中止しても再発が生じない状態（無治療寛解維持）となることが明らかになりました。しかし、３年間程度の治療期間で無治療寛解維持を達成できる患者の割合は５～10%に過ぎません。無治療寛解維持を達成するためには、少なくとも２年以上のDMRの維持が必要とされています。

当社のPAI-1阻害薬RS5614は、CML幹細胞に作用して、骨髄ニッチから遊離させます（Blood 2017）。遊離したCML幹細胞はTKIにより死滅するため、骨髄ニッチ内のCML幹細胞は消滅して、CMLの根治につながる可能性が示唆されました。実際に、CMLモデルマウスにRS5614とTKIを併用することで、TKI単独投与に比べて骨髄に残るCML幹細胞数が著明に減少し、生存率が大きく向上することが示されました（Blood 2017）。

後期第Ⅱ相試験

CML患者を対象にTKIとRS5614を併用し、RS5614投与開始後48週の有効性並びに安全性を確認するための後期第Ⅱ相試験（非盲検）を、東北大学、秋田大学及び東海大学で実施しました。その結果、33例中11例（33.3%）がDMRを達成し、TKI治療期間が３年以上５年以下の患者では達成率が50.0%でした。これは過去の試験結果に基づくヒストリカルコントロールの８%の約４倍に相当します。重篤な有害事象も認められず、TKIとRS5614の併用による有効性及び安全性が確認されました（Cancer Medicine 2023）。

第Ⅲ相試験

後期第Ⅱ相試験の成績に基づき、東北大学、東海大学及び秋田大学など12の大学・医療機関と共同で、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の第Ⅲ相試験を実施中です（2022年８月３日適時開示）。本試験では、TKI治療期間が３年以上６年未満のCML患者60例を対象とし、TKIとRS5614の併用による96週間（２年間）のDMR継続率の有意な上昇を検証します。DMRの維持はTKI中止後の無治療寛解（TFR）を目指す上での前提条件とされています。現在までに、登録された全患者57例への投与が予定どおり完了しており（2026年９月29日適時開示）、今後、本試験の評価及びデータ解析の結果を治験総括報告書にまとめる予定です。

本試験は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）」の助成を受けています（2022年３月22日適時開示）。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」の最終年度評価では、第Ⅲ相試験の目標症例数の登録が予定どおり2023年12月に完了し、試験が順調に進捗していることを理由に、助成期間が延長されました（2024年12月３日適時開示）。2026年３月期及び2027年３月期にも助成を受けることが決定しました（2025年５月７日、2026年２月12日適時開示）。

(b) 悪性黒色腫（メラノーマ）治療薬

悪性黒色腫は表皮にある色素を作る細胞（メラノサイト）から発生する悪性度の高いがんです。欧米と比べ、日本の患者数は約4,000人と少なく、希少がんに分類されます。日本人患者は、海外の患者とは異なる遺伝子変異を有することから、標準治療である免疫チェックポイント阻害薬の抗PD-1抗体（ニボルマブ、商品名オプジーボ）による治療が効きにくいことが報告されています（Ann Oncol. 2020）。抗CTLA-4抗体（イピリムマブ、商品名ヤーボイ）とニボルマブの併用療法による奏効率は33.3%で、ニボルマブ単剤の20%を上回りますが、併用患者の約70%で重度の免疫関連副作用が発現することが問題となっています。さらに、２種類の高額な抗体医薬品を使用しなければなりません。そのため、副作用が少なく、奏効率の向上が期待でき、抗体医薬品より安価で、経口投与が可能な簡便な併用薬の開発が望まれています。

第Ⅱ相試験

民間非営利組織（NPO）「Japan Skin Cancer Network（JSCaN）」に属する東北大学、筑波大学、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学及び熊本大学の６医療機関と共同で、悪性黒色腫に対するRS5614とニボルマブとの併用による有効性及び安全性を確認するための第Ⅱ相試験（非盲検）を実施しました。本試験は、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）」の助成を受けて実施しました。RS5614をニボルマブと８週間併用した結果、29例中７例で奏効（24.1%）が確認され、ニボルマブとイピリムマブの併用療法における奏効率（海外21%、国内13.5%）を上回りました（2024年２月22日適時開示）。また、ニボルマブとRS5614の併用により、62%という高い病勢制御率が得られました。一方、ニボルマブとイピリムマブ併用療法で問題となる重篤な免疫関連副作用は認められませんでした（2024年２月22日適時開示）。本試験の結果は科学誌『British Journal of Dermatology』に掲載されました（2024年６月７日適時開示）。

第Ⅱ相試験の結果を踏まえ、厚生労働省から悪性黒色腫に対する希少疾病用医薬品の指定を受けました（2024年９月２日適時開示）。希少疾病用医薬品指定を受けたことにより、悪性黒色腫治療薬としてのRS5614は、薬価算定において市場性加算の対象となりえるほか、将来承認された場合には、再審査期間が通常より長く設定されることから、本治療薬の事業上の独占期間が長くなることが期待されます。

第Ⅲ相試験

現在、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RS5614との併用による有効性及び安全性を検証する第Ⅲ相試験を、ランダム化プラセボ対照二重盲検試験として、東北大学病院など国内18施設で実施しています（2025年２月18日適時開示）。国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所の令和７年度希少疾病用医薬品等試験研究助成事業に、第Ⅲ相試験を対象とした申請が採択されました（2025年７月16日適時開示）。2025年４月から2028年３月までの３事業年度において、悪性黒色腫の関連研究費として支出した経費の２分の１を上限とし、同研究所の当該事業予算の範囲内で事業年度ごとに助成を受けられます。本第Ⅲ相試験では、予定症例数を124例としており、2026年10月５日に全患者の登録が完了しました（2026年10月５日適時開示）。今後、被験者の観察期間を経て、主要評価項目の評価及びデータ解析の結果を治験総括報告書に取りまとめる予定です。

台湾における薬事承認を視野に入れ、台北医学大学とブリッジングスタディを実施するための契約を締結しました（2025年12月15日適時開示）。現在、台北医学大学が主体となり、台湾の規制当局であるTaiwan Food and Drug Administration（TFDA）と臨床試験に向けた協議を進めています。

(c) 血管肉腫治療薬

血管肉腫は国内の患者数が約300人の極めて希少ながんであり、５年生存率は９％と非常に低く、悪性度の高いがんです。血管肉腫の標準治療における第１選択薬はパクリタキセルですが、患者の全生存期間は649日と短く、長期寛解を得ることは困難です。PAI-1は主として血管内皮から産生されるため、血管内皮細胞の腫瘍である血管肉腫ではPAI-1が高発現しています。血管肉腫の患者検体を用いた解析では、PAI-1の発現量が多い患者ほど予後が悪いことが明らかとなっています。パクリタキセルはがん細胞を死滅（アポトーシス）させますが、PAI-1を多く発現するがん細胞はアポトーシスに耐性を示すことから、PAI-1の発現量が多い血管肉腫では、パクリタキセルが効きにくいと考えられます。

第Ⅱ相試験

PAI-1阻害薬RS5614を併用することでパクリタキセルの治療効果を増強できる可能性に基づき、東北大学など７医療機関と「皮膚血管肉腫に対するパクリタキセルとRS5614併用の安全性・有効性を検討する第Ⅱ相試験（非盲検）」を開始し（2023年10月26日適時開示）、16例の症例登録を完了しました（2025年６月20日適時開示）。また、全登録患者への投与を予定どおり完了しました（2025年12月12日適時開示）。

試験結果では、治療開始28週時点の画像判定（中央判定）による奏効率（完全奏効）は13.3％（95％信頼区間：1.7％～40.5％）でした。さらに、無増悪生存期間（PFS）及び全生存期間（OS）の中央値は、それぞれ4.0ヶ月及び20.8ヶ月で、国内前向き臨床試験JCOG1605におけるパゾパニブの結果（2.8ヶ月、12.1ヶ月）を上回りました。また、15例中13例（86.7％）で病勢の安定が確認され、高い病勢制御率が示されました（2026年２月10日適時開示、その後、奏効率の数値を修正）。一方、副作用の発現は少なく、因果関係を否定できないGrade3以上の有害事象は16例中５例（31.25％：肝機能障害及び白血球減少）であり、Grade5の有害事象及び治験薬との因果関係が認められる重篤な有害事象は確認されませんでした。JCOG1605におけるGrade3以上の有害事象の発現率70％と比較しても、良好な忍容性が示されています。なお、2026年９月７日付で本試験の治験総括報告書を確定し、最終結果は上記の速報値と同一であることを確認しています。

第Ⅲ相試験

第Ⅱ相試験の結果を踏まえ、薬事承認を目指す第Ⅲ相試験の実施に向けて、現在、PMDAと協議を進めています。また、2026年９月25日付で、厚生労働大臣より皮膚血管肉腫を対象とする希少疾病用医薬品の指定を受けました（2026年９月25日適時開示）。希少疾病用医薬品指定を受けたことにより、皮膚血管肉腫治療薬としてのRS5614は、薬価算定において市場性加算の対象となりえるほか、将来承認された場合には、再審査期間が通常より長く設定されることから、本治療薬の事業上の独占期間が長くなることが期待されます。また、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所を通じた助成金交付などの優遇措置を受けることが可能となります。

(d) 非小細胞肺がん治療薬

肺がんは日本におけるがん死亡原因の第一位であり、非小細胞肺がんは肺がん全体の85％を占めます。そのうち、根治的手術が適応とならない局所進行非小細胞肺がんの患者は年間約１万人に上ります。非小細胞肺がんモデルマウスを用いた非臨床試験により、免疫チェックポイント阻害薬ニボルマブとRS5614の併用投与では、ニボルマブ単剤投与よりも高い治療効果が得られることを確認しました。さらに、PAI-1が腫瘍血管の新生を促進し、肺がん細胞の増殖能を亢進させること、ニボルマブ耐性となった肺がん細胞でPAI-1が高発現することなどを見出しました。

前期第Ⅱ相試験

切除不能な進行・再発非小細胞肺がん患者（３次治療以降）を対象に、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、ニボルマブとRS5614の併用投与による有効性及び安全性を確認するための前期第Ⅱ相試験を開始し（2023年９月26日適時開示）、症例登録を終了しました（2025年７月３日適時開示）。有効性（奏効）が確認され、RS5614の内服継続を希望する患者がいたことから、

試験期間を３ヶ月延長し（2025年11月26日適時開示）、試験を終了しました（2026年３月５日適時開示）。速報結果では、全症例（３次治療以降）における主要評価項目の奏効率（ORR）は8.3%、副次評価項目の６ヶ月無増悪生存割合（PFS）は22.5%でした。そのうち、３次治療として本試験治療を受けた11例では、奏効率18.2%、６ヶ月無増悪生存割合27.5%と、より高い有効性が示されました。既報（Clin Cancer Res. 2022 28: OF1-OF7. doi: 10.1158/1078-0432.CCR-22-0602）のニボルマブ単剤療法と比較して、約10%の抗腫瘍効果の上乗せを示す結果でした。安全性については、試験治療に関連するGrade 3以上の有害事象の発現率は13.8%であり（既報のニボルマブ単剤療法では20.3%）、重篤な副作用は認められませんでした。最終的な治験総括報告書の作成は、2026年11月頃を予定しています。

後期第Ⅱ相試験

局所進行非小細胞肺がん患者に対しては、根治を目的として化学放射線療法が標準治療として行われます。化学放射線療法後に病勢進行や重篤な放射線肺障害を含む合併症が認められない患者には、免疫チェックポイント阻害薬デュルバルマブによる地固め療法が施行されます。前期第Ⅱ相試験の結果から、RS5614による免疫チェックポイント阻害薬の効果増強が期待され、また、早期の治療でより高い有効性が得られたことから、後期第Ⅱ相試験として「局所進行非小細胞肺がんを対象に、初回標準治療である化学放射線療法と免疫チェックポイント阻害薬デュルバルマブによる地固め療法に対するPAI-1阻害薬（RS5614）併用療法の有効性（主要評価項目：１年無増悪生存割合）と安全性を検討する医師主導治験」を、広島大学病院など12医療機関で2026年４月に開始しました（2025年11月26日、2026年４月24日適時開示）。根治手術が適応とならない局所進行非小細胞肺がん患者27例を対象に、2029年３月まで実施する予定であり、2026年７月には最初の患者への投与を開始しました（2026年７月17日適時開示）。2026年10月末時点の登録者数は３名です。

本試験はAMEDの令和８年度「臨床研究・治験推進研究事業」に採択されたことにより、当初想定していた本試験の費用負担が軽減され、2027年３月期から2029年３月期までの収益性が改善する見込みです（2026年３月９日適時開示）。当社は、国立大学法人広島大学と非小細胞肺がんに対する非臨床試験及び臨床試験に向けた共同研究契約を締結し、さらに、包括的研究協力に関する協定書を締結しました（2023年４月24日適時開示）。これらの契約に基づき、オープンイノベーション拠点（Hiroshima University x Renascience Open Innovation Labo：HiREx）を設けています。これらの肺がん試験はHiRExを主体として実施しています。

(e) 膵臓がん治療薬

膵がんは、悪性腫瘍の部位別死亡数で第３位に位置し、早期発見が極めて困難な疾患です。診断時に切除可能な症例は15～20%にすぎず、46.3%は遠隔転移を伴う状態で診断されます。長期生存には根治的切除が重要ですが、根治的切除後も再発が極めて多く、５年生存率は18.8～31.3%にとどまるなど、予後は依然として不良です。遠隔転移を有する膵がんや切除後再発膵がんに対する標準治療は化学療法ですが、有効な治療法は限られています。FOLFIRINOX療法（奏効率31.6%、全生存期間11.1ヶ月）やゲムシタビン及びナブパクリタキセル療法（GnP療法：奏効率29%、全生存期間8.5ヶ月）を用いても５年生存率は全体で10%程度にとどまり、遠隔臓器やリンパ節に転移した段階であるステージ４では１～３%です。このため、既存の標準治療の効果を増強する治療薬が求められています。

PAI-1は、膵臓がんの予後不良因子の１つです。PAI-1阻害薬RS5614は、がん組織において、上皮間葉転換の抑制、Tリンパ球の活性化、腫瘍浸潤マクロファージ（TAM）の減少、腫瘍内Tリンパ球数の増加、がん細胞における免疫チェックポイント分子発現の低下、免疫チェックポイント分子阻害薬に対する耐性の解除、腫瘍免疫微小環境の改善及び腫瘍免疫の活性化などの作用を有しています（2025年11月11日当社ニュース掲載）。また、PAI-1阻害薬が有する抗血栓作用や抗線維化作用、さらにはがん関連線維芽細胞（CAF）の減少作用は、膵がんの腫瘍微小環境を改善する上でも有用と考えられます。

米国アイカーン医科大学マウントサイナイ校の研究グループによる論文「A serpin-myeloid axis in pancreatic cancer heterogeneity and immune evasion」が、国際学術誌Nature（doi: 10.1038/s41586-026-11002-8）に掲載されました（2026年９月25日当社ニュース掲載）。この論文は、PAI-1が膵がんの腫瘍微小環境形成と免疫回避において中心的な役割を果たすことを強く示唆するものです。当社のRS5614そのものを用いた検証ではありませんが、当社がPAI-1を膵がん治療の標的分子として選定してきた妥当性を支持するものです。

第Ⅱ相試験

「遠隔転移を有する切除不能膵がん又は再発膵がんに対するゲムシタビン及びナブパクリタキセル療法とRS5614併用の安全性・有効性を検討する第Ⅱ相試験（非盲検）」を東北大学病院など３医療機関で開始しました（2026年５月12日適時開示）。遠隔転移を有する切除不能膵がん又は再発膵がん患者50例を対象とし、奏効率を主要評価項目として実施しています。2026年10月末時点の登録者数は15名です。

c. 抗加齢・長寿研究

(a) 老化細胞を除去するセノリティクス内服薬RS5614

従来の医薬品開発は、単一疾患・単一標的・明確な臨床評価指標（エンドポイント）を前提とします。一方、「老化」は加齢に伴う生理的変化の連続的な延長であり、個体差も大きいため、現在の医療保険制度上は「疾患」とみなされておらず、明確な診断基準・評価指標での医薬品開発は困難です。そのため事業化には薬事規制、臨床試験デザイン、保険償還制度、ビジネスモデルなど、さまざまな課題があります。しかし近年、食事療法・運動療法・睡眠療法・サプリメントなど従来の老化対策とは異なる新たなアプローチとして、幹細胞治療、エクソソーム治療、エピジェネティック・リプログラミング（老化細胞の若返り）、セノリティクス（老化細胞除去）などが登場し、臨床試験も展開されつつあります。これらは、ヘルスケアの基盤を変え得る重要なプラットフォーム事業として多額の資金が投じられる分野となっています。

老化の病態は単一ではなく、エピジェネティック情報、代謝、炎症、幹細胞機能、免疫などが相互に影響し、生体全体の恒常性が崩れた状態です。除去されずに蓄積した老化細胞は炎症性サイトカインやケモカイン（老化関連分泌形質：SASP）を持続的に放出し、周囲の健全な細胞・組織に慢性炎症を引き起こして、動脈硬化、線維化、神経変性、代謝異常などの老化関連疾患に共通する病態基盤を形成します。したがって、老化への介入では、単一の病態を改善するのではなく、生体機能への多面的な介入により崩れた全体のバランスを改善するという考え方が重要です。当社のPAI-1阻害薬RS5614は、複数経路にまたがり統合的に介入することで、老化環境の改善、老化細胞の除去、生物学的年齢の若返りをもたらし、種々の加齢疾患を予防・治療できる可能性を有するなど、セノリティクス医薬品に適したプロファイルとモダリティを備えています。

これまで国内外の研究機関との共同研究により、以下の知見が得られています。

- 細胞老化：老化した細胞ではPAI-1の発現が極めて高く、PAI-1阻害薬はp53、p21などの細胞周期調節因子やDNA損傷応答等の老化バイオマーカーを改善し、心筋細胞や血管内皮細胞の老化を抑制します。
- 組織・個体老化：早老症モデル（klothoマウス）やウェルナー症候群患者でもPAI-1の高発現が確認されており、老化モデルマウスへのPAI-1阻害薬投与により老化の主症状が改善し、正常マウスと同等の寿命を維持できることが示されています。
- 加齢関連疾患：がん、動脈硬化、糖尿病、慢性腎臓病、認知症など加齢に伴う疾患の病的組織ではPAI-1の発現が極めて高く、PAI-1阻害薬投与による病態改善が確認されており、生活習慣病により加速される「血管の老化」の防止・回復作用も示唆されています。
- 長寿家系の疫学的調査：米国ノースウエスタン大学との共同調査により、PAI-1欠損型の遺伝子変異を有する人は、同変異を有しない人に比べて寿命が約10年長いことが見出されました。また、同様の遺伝子異常を持つマウスでも寿命が20%長いことが示されています。

ヒトでの臨床試験

PAI-1阻害薬RS5614の抗加齢・長寿作用に基づき、当社は「老化細胞を除去し、老化関連疾患を抑制する新規医薬品（セノリティクス内服薬）」を提案し、東北大学、東海大学、広島大学と共同で、長寿コンペティションであるXPRIZE Healthspanに応募しました。世界から600以上のエントリー、200以上の書類申請があり、低分子医薬品、バイオ医薬品（エクソソーム、免疫調節剤、抗体医薬）、遺伝子治療、幹細胞治療、医療機器、サプリメント、機能性食品、食事制限、運動療法など多様な治療アプローチが提案される中、当社はセミファイナリストに選出されました（2025年５月13日適時開示）。

セミファイナリストは、短期間（４週～８週）、小規模（５～20人）の臨床試験を実施する必要がありました。そこで、加齢に伴い発症する疾患（高血圧症、2型糖尿病、慢性腎臓病、脂質異常症）を有し、症状が安定している50歳以上75歳以下の20例を対象に、RS5614を16週間投与する非盲検試験を実施しました（2025年８月

18日適時開示）。RS5614は多くのがん患者に投与されてきましたが、比較的健康な高齢者への投与は初めてであり、安全性を確認する必要がありました。東北大学を実施医療機関とし、広島大学及び東海大学が協力機関として参加しました。老化、免疫、代謝、骨・筋肉、認知・神経生理、抗酸化、造血幹細胞などの各領域について、エピゲノム、遺伝子、タンパク質及び細胞のバイオマーカーの変動を解析しました。RS5614を４ヶ月間投与し、投与前後の検査を実施できた19名（平均年齢60.4±5.6歳、男性13名、女性６名）を有効性評価対象とし、投与を受けた20名を安全性評価対象としました。主な結果は以下のとおりです。

・安全性：RS5614との因果関係を否定できない有害事象は軽度の肝機能異常１例のみで、出血イベントを含むその他の重篤な副作用は確認されず、高い安全性が確認されました。
・エピゲノム・遺伝子レベルの若返り：生物学的年齢（エピジェネティック・クロック）は、Horvath法で平均3.4歳、PC-Horvath法で平均1.9歳、いずれも有意な若返りを示しました（$p<0.001$）。また、老化関連マイクロRNA（SA-miRNA、miR-22-3p、miR-18a-5p、miR-28-5p等６種）も極めて有意に低下し、老化を誘導する遺伝子発現制御の軽減が示されました。
・免疫機能の再構築：異常に増加していた老化NK細胞が有意に減少し、免疫監視を担う樹状細胞が有意に増加したことから、免疫監視能力の向上が示唆されました。
・幹細胞機能の回復：造血幹・前駆細胞数及び加齢によるリンパ球産生低下に関わる多能性リンパ系前駆細胞（MLP）が有意に増加しました。また、RNA-seq解析では、オートファジーや抗酸化防御に関連する遺伝子群の増加、加齢を促進する遺伝子群の減少など、遺伝子発現が若年幹細胞に近い特性へ回復していることが示唆されました。
・タンパク質・代謝レベルでの全身機能向上：7,596種の血漿タンパク質を網羅的に解析（SomaScan）した結果、抗炎症・貪食関連因子の増加、骨・筋肉の修復・再生シグナル（IGF、Wnt、BMP系）の活性化、認知機能低下リスク因子（アミロイドβA4、SAP等）の減少と保護因子（NPTX2等）の増加、線溶系の活性化（u-PA、t-PA上昇）、脂質代謝の改善（可溶性レプチン受容体の増加）、小胞体ストレス応答の制御など、全身的な機能改善が確認されました。
・酸化ストレスの低下：酸化ストレスマーカー（8-OHdG）の減少傾向に加え、終末糖化産物（AGEs）の一種であるカルボキシメチルリジンが有意に低下しました。

今後の展望

RS5614を４ヶ月間投与した結果、エピゲノム（遺伝子修飾）あるいは遺伝子レベルでの改善が認められました。特筆すべき点は、生物学的年齢が平均２～３歳若返ったことです。タンパクレベルでも、免疫機能、骨・筋肉機能、代謝機能、並びに認知機能の改善など、抗加齢作用に関連する複数の指標で改善が認められました。細胞レベルでも、免疫細胞、造血幹細胞の機能回復や若齢化が認められ、さらに、全身での酸化ストレスの軽減も確認されました。比較的健康な高齢者に対してもRS5614を安全に経口投与できることが確認されたほか、４ヶ月間という短期間の投与にもかかわらず、免疫、代謝、骨・筋肉、認知・神経生理、抗酸化、造血幹細胞などの広範な領域で、抗加齢作用が確認されました（2026年５月14日適時開示）。これらの分子・細胞レベルでの変化が各種臓器の抗加齢作用に繋がり、最終的に健康寿命の延伸につながるかどうかは、今後の重要な検証課題です。

セミファイナル試験の結果、ファイナリスト適格候補として認定され、具体的な参加条件などの協議を重ねてきましたが、下記の理由から今後本コンペティションには参加しないことを決定しました。

① XPRIZE Healthspan評価委員会から、セミファイナル試験成績に関して「Excellent」との評価をいただきましたが、現時点で抗加齢・長寿に関して「未承認薬」という理由から今回の受賞対象（TOP10）から外れ、本コンペティションの主な対象である治療（既存治療法）とは違うと考えられること
② ファイナリストとして参加を継続する際の契約条件が当社の事業に支障を及ぼす可能性が懸念されること（データの所有権・ライセンス付与、10年間の契約、XPRIZEによる将来的な研究・商業利用を可能とする条件など）
③ 新規医薬品成分（内服薬）としてのRS5614の優位性等を考慮すれば、XPRIZE Healthspanへの参加が今後の事業価値の最大化に必ずしも繋がらないと判断できること

本コンペティションへの参加は取り止めますが、今後とも抗加齢・長寿の研究や事業を積極的に展開する方針に変更はありません。セミファイナル試験成績は極めて良好な内容であったことから、セミファイナル試験

成績をさらに補強し、発展させる大規模な臨床試験も予定しています（2026年８月11日適時開示）。

また、サウジアラビア最大の研究・医療機関である「キング・アブドラ国際医療研究センター（KAIMRC）」との間で基本合意書を締結し（2025年10月６日適時開示）、続いて臨床試験契約（Clinical Trial Agreement）を締結して、KAIMRCにおけるRS5614の第Ⅰ相臨床試験を開始することになりました（2026年７月21日適時開示）。さらに、台北医学大学の100％子会社であるTaipei Medical University（TMU） -Biotech社と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ています（2024年11月５日適時開示）。現在、ノースウエスタン大学、KAIMRC、台北医学大学が主体となって、それぞれの国の薬事規制当局（FDA、Saudi FDA、Taiwan FDA）と協議を進めています。今後、日本や米国などの公的研究・医療機関及び民間企業と共同で抗加齢・長寿研究及び事業化に向けた開発を進める予定です。

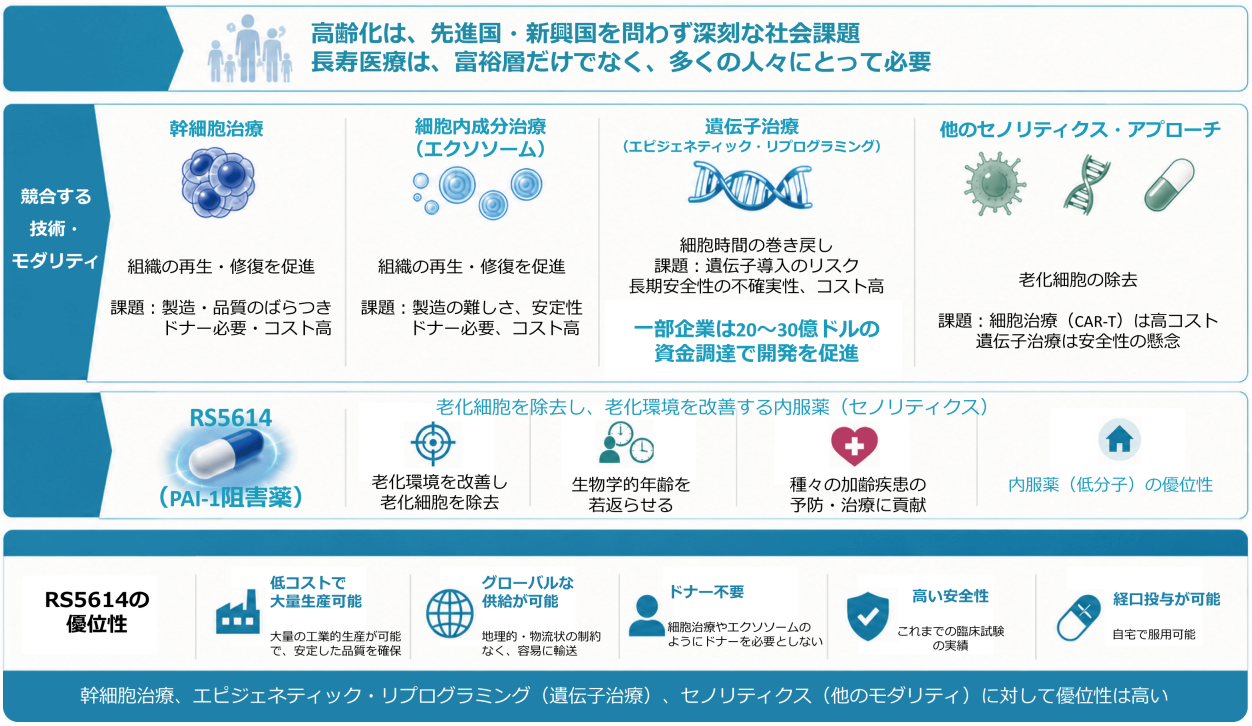
長寿関連事業（医療用医薬品、OTC医薬品及び動物医薬品）は、超高齢化を背景として、経済や生活に与える影響が極めて大きい成長分野です。PAI-1阻害薬RS5441を脱毛症治療薬として開発している実例もあり、当社はPAI-1阻害薬の抗加齢・長寿研究をさらに展開する予定です。また、抗加齢・長寿領域は大きな事業性が期待される分野であると考え、今後の事業展開の拡大に備えるため、当社の定款の一部を変更し、「医療機関の運営、医療機関の運営等に関する業務の受託その他の医療事業及び同事業に関連するコンサルティング業務」を会社の目的に明記しました。なお、当社のがん及び抗加齢・長寿領域に関連する取材記事が、科学誌『Nature（Digital edition）』、『Nature Biotechnology』、『Nature Reviews Drug Discovery』に掲載されました（2025年12月１日、2026年２月26日開示）。

当社技術（セノリティクス内服薬）と競合する技術として、幹細胞治療、細胞内成分治療（エクソソーム）、遺伝子治療（エピジェネティック・リプログラミング）などが挙げられます。特に、エピジェネティック・リプログラミングは、米国Life Biosciences社や米国Altos Labsなどのバイオテック企業が、20～30億ドルの資金調達を行い、開発を進めている分野です。「老化」に対する治療法の開発という挑戦は、社会構造の基盤となるヘルスケアのイノベーションをもたらし、重要なプラットフォーム事業となり得るため、多額の資金が集まっています。2026年１月、米国FDAはLife Biosciencesが開発する「ER-100」の臨床試験開始を許可しました。ER-100は、遺伝子治療によりOSK（OCT4、SOX2、KLF4の３つの転写因子、iPS細胞作製に重要な「山中4因子」から腫瘍化リスクの高いc-Mycのみを除いたもの）を導入し、細胞を部分的に初期化（時間を巻き戻す）する方法です。本治験は視神経症という具体的な疾患を対象としていますが、「老化」を視野に入れた研究です。

一方、当社のアプローチは、細胞の時間を巻き戻す（エピジェネティック・リプログラミング）遺伝子治療ではなく、蓄積した老化細胞を除去するセノリティクス内服薬です。セノリティクスのアプローチを採用するバイオテック企業も複数あり、細胞治療（CAR-T）、遺伝子治療、既存の低分子医薬品の適応外使用（ドラッグリパーパシング）など、複数モダリティが提案されています。当社は、その中で新規低分子医薬品（内服薬）であるPAI-1阻害薬RS5614の開発を進めています。

当社のRS5614は、老化環境を改善し、老化細胞を除去し、生物学的年齢を若返らせ、種々の加齢疾患を予防・治療できる可能性が示唆されており、セノリティクス医薬品に適した特性とモダリティを備えています。本剤は生物製剤や核酸系医薬品とは異なり、低コストでの大量合成が可能な低分子化合物（分子量：424.81、錠剤）です。工業的な大量生産、安定した品質管理及びグローバルな供給が可能です。また、経口投与が可能であるため、他の生物製剤とは異なり、自宅で服用できます。細胞製剤、エクソソーム、遺伝子治療などのバイオ医薬品と比べ、地理的又は物流上の制約が少なく、容易に輸送できるほか、細胞製剤やエクソソームとは異なりドナーも必要としません。最も重要な安全性に関しても、細胞製剤、エクソソーム、遺伝子治療などのバイオ医薬品に比べて副作用が少ないことはメリットであり、20名の高齢者を対象とした臨床試験においても、高い安全性が確認されています。世界的な高齢化は、先進国のみならず新興国においても深刻な社会問題となりつつあります。長寿医療は、富裕層に限らず、多くの人々に必要な医療であることから、内服薬であるRS5614は、幹細胞治療、エクソソーム治療、エピジェネティック・リプログラミング遺伝子治療、その他のモダリティを用いたセノリティクス医薬品と比べても実用面で高い優位性を有すると考えています。

社会構造の基盤であるヘルスケアのイノベーションをもたらし、プラットフォーム事業となる可能性



(b) 動物医薬品

RS5614の抗加齢・長寿に対する作用や薬理特性はヒト医療のみならず、イヌやネコなどのコンパニオンアニマルを対象とする動物医療分野でも有用であることが期待されます。このため、イヌやネコを対象とした動物医薬品分野での研究を開始しました。具体的には、イヌ及びネコでの有効性を検討するための臨床試験に先立ち、イヌ及びネコにおける安全性確認試験を実施しました（2025年11月19日適時開示）。イヌ及びネコに28日間RS5614を想定薬効用量の10倍量経口投与しましたが、ネコで食事量の減少を認めたほかは、一般状態の観察、血液学的検査及び血液生化学的検査において、特に問題となる有害事象は認められませんでした（2026年２月４日適時開示）。今後、イヌの関節炎、悪性黒色腫などの皮膚がん並びにネコの慢性腎臓病に対する有効性を検討する予定です。

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

毛髪は毛が伸びる成長期、毛が抜けやすくなる退行期、毛が抜ける休止期と複数の相からなる周期を繰り返しながら成長します。男性型脱毛症（AGA）は、毛周期を繰り返す過程で成長期が短くなり、休止期にとどまる毛包（毛根を包み、毛を成長させる組織）が多くなる疾患で、日本人男性における頻度は50代以降で40%以上です。米国ノースウエスタン大学との共同研究により、PAI-1を過剰発現するマウスは脱毛が顕著である一方、このマウスにPAI-1阻害薬RS5441を経口投与すると、著明な発毛が認められることが分かりました。RS5441の投与により総毛包数は93.5%増加し、退行期の毛包数は64%減少しました。

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、同社において男性型脱毛症及び加齢性脱毛症外用薬（ET-02）として開発されています。男性型脱毛症患者の頭皮組織移植片60検体を用いた非臨床試験では、ET-02による治療４ヶ月後の発毛率は、標準治療薬ミノキシジルによる発毛率の４倍となる結果が得られました。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（2024年７月３日適時開示）、ET-02（RS5441）は安全で、良好な忍容性を示し、プラセボ群と比較して非軟毛（又は正常）の毛数が６倍に増加したことが報告されました（2025年１月９日適時開示）。同社は、米国における第Ⅱ相臨床試験の開始を2027年とする旨を発表しており、将来的にET-02が商業化された場合には、当社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（(a) ET-02の製品が当社許諾特許の有効な請求範囲でカバーされる最終日、(b) ET-02の製品に関する規制又はデータ独占権の満了日、及び(c) ET-02の製品の最初の販売から10年後、のいずれか遅い日まで）ロイヤリティを受領できる契約となっています。

d. 人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器の開発

AIを活用したプログラム医療機器は、医薬品開発と比較して研究開発期間及び投資規模を相対的に抑えながら、医療現場の課題解決と早期の事業化を目指すことができる重要な事業領域です。当社は、医療ニーズの把握、医師・診療科とのネットワーク、医師主導治験で蓄積した臨床開発ノウハウを活用し、医療機関、AI技術を有するITベンダー、出口企業を結ぶハブとして、診断・治療支援AIの社会実装を目指しています。

AIプログラム医療機器では、単にAIモデルを構築するだけでなく、臨床現場で使用される医療機器としての有効性、安全性、操作性、薬事承認、保険償還、販売体制までを見据えた開発が必要です。当社は、臨床性能試験の設計、医師主導研究との連携、事業会社との共同開発を通じて、研究成果を社会実装につなげる体制の構築を進めています。

(a) RSAI01（呼吸機能検査診断プログラム医療機器）

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と共同で、呼吸機能検査結果をAIで解析し、呼吸器疾患の診断支援に活用するプログラム医療機器の開発を進めてきました。2023年３月に当社が関与する研究開発段階を終了しており、現在はチェスト株式会社において事業化に向けた開発が進められています。当社は、本パイプラインに関してマイルストーン収入及び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ています。

(b) RSAI02（維持血液透析医療支援プログラム医療機器）

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ソリューションイノベータ株式会社と共同で、維持血液透析患者の治療支援を目的とするAIプログラム医療機器を開発しています。透析医療では、患者ごとの体液量、血圧、体重変化、合併症等を踏まえた除水量等の判断が重要であり、AIによる診療支援は医療の標準化及び医療従事者の負担軽減に資する可能性があります。

薬事承認申請のための臨床性能試験では、目標症例数150例の登録を完了しました。解析では主要評価項目である目標正解率80%を上回る90%という結果が得られており、透析医療現場における除水量等の治療支援AIとして事業化を目指しています。

(c) RSAI03（糖尿病治療支援プログラム医療機器）

東北大学、日本電気株式会社、NECソリューションイノベータ株式会社と共同で、糖尿病診療における治療方針の判断を支援するAIプログラム医療機器を開発しています。糖尿病治療では、血糖管理、合併症リスク、薬剤選択、生活習慣等を総合的に判断する必要があり、AIによる治療支援は、専門医と非専門医の診療格差の縮小に資する可能性があります。

薬事承認のための臨床性能試験では、目標症例数130例分のデータを取得し、最終的な正解率は85.46%となり、主要評価項目である目標正解率80%を上回りました。また、専門医に対するプログラム医療機器の非劣性が実証されています。今後は国際共同研究も含め、糖尿病診療における治療支援AIとして開発を進めています。

(d) RSAI04（嚥下機能低下診断プログラム医療機器）

東北大学、日本電気株式会社と共同で、音声から嚥下機能低下を診断するプログラム医療機器の開発を進めています。嚥下機能の低下は、高齢者におけるオーラルフレイル、誤嚥性肺炎、栄養状態の悪化に関与する重要な医療課題です。音声を活用した評価により、簡便かつ非侵襲的にリスクを把握できる可能性があり、PMDA開発前相談も実施しています。

(e) 乳がん病理診断AI及びその他探索パイプライン

病理画像から乳がん病変を検出するAIの探索研究を進め、術中迅速病理診断支援への応用も検討しています。病理診断領域では、画像データを高精度に解析することで、診断の効率化、見落としリスクの低減、病理医の負担軽減が期待されます。

さらに、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、臨床データを活用した新たなAI医療ソリューションの創出にも取り組んでいます。これら探索パイプラインについては、臨床的有用性、薬事上の実現可能性、事業会社との連携可能性を踏まえ、優先順位を検討していきま

す。

e. 医療機器及びその他パイプライン

RS9001（ディスポーザブル極細内視鏡）は、腹膜透析患者等における腹腔内観察の低侵襲化を目指して開発した、外径約１㎜のディスポーザブルファイバースコープです。ファイバースコープ部分はPMDAに承認申請され、厚生労働省から薬事承認を受けています。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、付属品であるガイドカテーテルの作製を含む医療機器開発に関する共同研究契約を締結しました（2022年９月１日適時開示）。その後、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（2024年５月20日適時開示）、開発を進めてきました。ガイドカテーテルの開発及び製造の目途が立ち、多施設共同臨床試験でも有害事象は認められず、安定期腹膜透析患者の臨床評価を補完する有用な低侵襲的検査法であることが確認されました（2024年６月24日、2026年３月４日適時開示）。ガイドカテーテルとファイバースコープを組み合わせた薬事申請を2026年内に予定していましたが、新たに規制当局から指定された安全性試験等によって、申請時期が変更される可能性があることを確認しました。その他のパイプラインでは、PAI-1阻害薬RS5614について、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に伴う肺傷害及び全身性強皮症に伴う間質性肺疾患を対象とした開発を進めてきました。COVID-19に伴う肺傷害については、前期及び後期第Ⅱ相医師主導治験を実施し、安全性を確認するとともに、中等症患者における有効性が示唆されました。現在は、新型コロナウイルス感染症の流行状況を踏まえ、将来の新たなウイルス感染症等に対して速やかに臨床試験を実施できるよう、開発基盤の維持に努めています。

全身性強皮症に伴う間質性肺疾患については、AMEDの支援を受け、東北大学など国内12医療機関と共同で第Ⅱ相試験を実施しました。速報結果では、主要評価項目である48週時点の%FVC変化量について、RS5614群のプラセボ群に対する有意な上乗せ効果は認められませんでした。一方、皮膚硬化の指標であるmRSSについては、治療経過全体を踏まえた追加解析において改善傾向が認められました（2026年４月10日適時開示）。

RS8001（ピリドキサミン）については、天然ビタミンB6の一種であるという特性を踏まえ、精神疾患領域を中心に開発の可能性を検討しています。今後も、既存パイプラインとの優先順位や事業性を見極めながら、開発方針を検討していきます。

また、診断薬領域では、フェニルケトン尿症患者の血中フェニルアラニン濃度を自宅で簡便に測定することを目的とした測定キットを、東北大学大学院医学系研究科小児科学教室と共同で開発しています。本測定キットは、患者のきめ細やかな食事管理を支援することを目指すものであり、診断薬に関する特許出願及びPMDA相談を実施しています。

f. 企業提携及びオープンイノベーション

当社は、POC（概念実証）取得後のライセンスアウト、オプション契約、共同研究契約を通じて、開発コストを抑制しながら企業価値の最大化を図る事業モデルを採用しています。契約締結済みパイプラインとして、PAI-1阻害薬RS5441、ディスポーザブル極細内視鏡、呼吸機能検査診断AIなどの導出実績を有しており、維持血液透析医療支援AI等では事業会社との共同開発を進めています。

今後も、がん、抗加齢・長寿、AIプログラム医療機器を重点領域として、国内外の研究機関、医療機関、製薬企業、医療機器企業、IT企業との連携を強化します。特に、がん領域では薬事承認に向けた臨床試験の完遂及び開発提携、抗加齢・長寿領域では国際共同研究及び特定臨床研究で得られた知見の活用、AIプログラム医療機器では事業会社との連携による社会実装を進め、研究成果の事業化と企業価値向上を目指していきます。

（４）業績予想などの将来予測情報に関する説明

2027年３月期の業績予想につきましては、2026年５月13日に公表いたしました「2026年３月期　決算短信〔日本基準〕（非連結）」の業績予想から変更はありません。

２．中間財務諸表及び主な注記

（１）中間貸借対照表

（単位：千円）

	前事業年度 (2026年３月31日)	当中間会計期間 (2026年９月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	3,402,705	3,193,623
貯蔵品	12	17
前払費用	52,996	58,632
未収入金	10,738	－
その他	36,700	8,538
流動資産合計	3,503,153	3,260,812
固定資産		
有形固定資産		
工具、器具及び備品（純額）	－	470
有形固定資産合計	－	470
投資その他の資産		
その他	110	110
投資その他の資産合計	110	110
固定資産合計	110	580
資産合計	3,503,263	3,261,392

（単位：千円）

	前事業年度 (2026年３月31日)	当中間会計期間 (2026年９月30日)
負債の部		
流動負債		
未払金	135,871	60,008
未払費用	20,581	1,342
前受金	―	21,230
未払法人税等	18,404	9,190
預り金	5,728	1,940
流動負債合計	180,585	93,712
負債合計	180,585	93,712
純資産の部		
株主資本		
資本金	1,982,422	1,982,422
資本剰余金	2,464,010	1,327,681
利益剰余金	△1,136,328	△154,997
自己株式	△17	△17
株主資本合計	3,310,086	3,155,088
新株予約権	12,591	12,591
純資産合計	3,322,677	3,167,679
負債純資産合計	3,503,263	3,261,392

（２）中間損益計算書

（単位：千円）

	前中間会計期間 （自　2025年４月１日 至　2025年９月30日）	当中間会計期間 （自　2026年４月１日 至　2026年９月30日）
事業収益	10,000	10,000
事業原価	1,580	1,582
売上総利益	8,419	8,417
事業費用	196,858	169,823
営業損失（△）	△188,439	△161,406
営業外収益		
受取利息	1,563	6,798
雑収入	－	112
コンテスト賞金収入	36,975	－
営業外収益合計	38,538	6,910
営業外費用		
為替差損	1,326	－
営業外費用合計	1,326	－
経常損失（△）	△151,226	△154,495
税引前中間純損失（△）	△151,226	△154,495
法人税、住民税及び事業税	502	502
法人税等合計	502	502
中間純損失（△）	△151,728	△154,997

（３）中間キャッシュ・フロー計算書

（単位：千円）

	前中間会計期間 （自　2025年４月１日 至　2025年９月30日）	当中間会計期間 （自　2026年４月１日 至　2026年９月30日）
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税引前中間純損失（△）	△151,226	△154,495
減価償却費	－	54
受取利息	△1,563	△6,798
コンテスト賞金収入	△36,975	－
為替差損	1,326	－
前払費用の増減額（△は増加）	△34,451	△5,636
前受金の増減額（△は減少）	36,298	21,230
未収入金の増減額（△は増加）	12,850	10,738
未払金の増減額（△は減少）	△40,632	△75,863
未払費用の増減額（△は減少）	291	△19,238
未収還付消費税等の増減額（△は増加）	△12,746	13,453
その他の資産の増減額（△は増加）	△11,120	1,222
その他の負債の増減額（△は減少）	△2,692	△11,604
小計	△240,642	△226,936
利息の受取額	1,563	6,798
コンテスト賞金収入の受取額	35,648	－
法人税等の支払額又は還付額（△は支払）	△30,433	11,580
営業活動によるキャッシュ・フロー	△233,864	△208,557
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	－	△524
投資活動によるキャッシュ・フロー	－	△524
財務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の増減額（△は減少）	△233,864	△209,081
現金及び現金同等物の期首残高	1,799,816	3,402,705
現金及び現金同等物の中間期末残高	1,565,952	3,193,623

（４）中間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。

（株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記）

当社は、2026年６月25日開催の第27回定時株主総会の決議に基づき、2026年８月７日付で、会社法第448条第１項の規定に基づき、資本準備金1,136,328千円を減少し、その全額をその他資本剰余金に振り替えております。また、会社法第452条の規定に基づき、当該その他資本剰余金1,136,328千円を繰越利益剰余金に振り替え、欠損填補に充当しております。

この結果、当中間会計期間末において、資本金は1,982,422千円、資本剰余金は1,327,681千円、利益剰余金は△154,997千円となっております。

（セグメント情報等の注記）

【セグメント情報】

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。