



東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2016年3月期
第2四半期 決算説明資料

2015年12月14日

当社の事業進捗

- グローバル展開の加速
- 競争力の高い新製品群のラインアップ
- M&Aによる事業ポートフォリオの拡充
- 再生医療への取り組み強化

株式会社リプロセル

設立：2003年2月

資本金：4,014百万円(2015年9月末)

グループ社員数：107名

Europe



創薬支援サービス

3次元細胞培養

2015年12月子会社化

2014年7月子会社化

Japan



iPS細胞製品

United States



iPS細胞製品

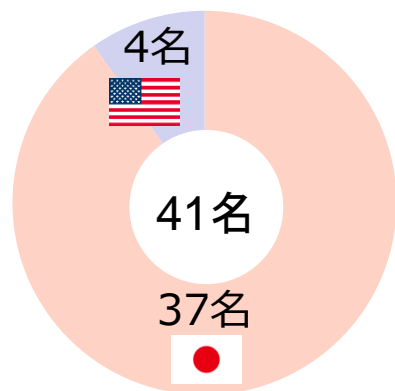
ヒト生体試料

2014年10月事業買収

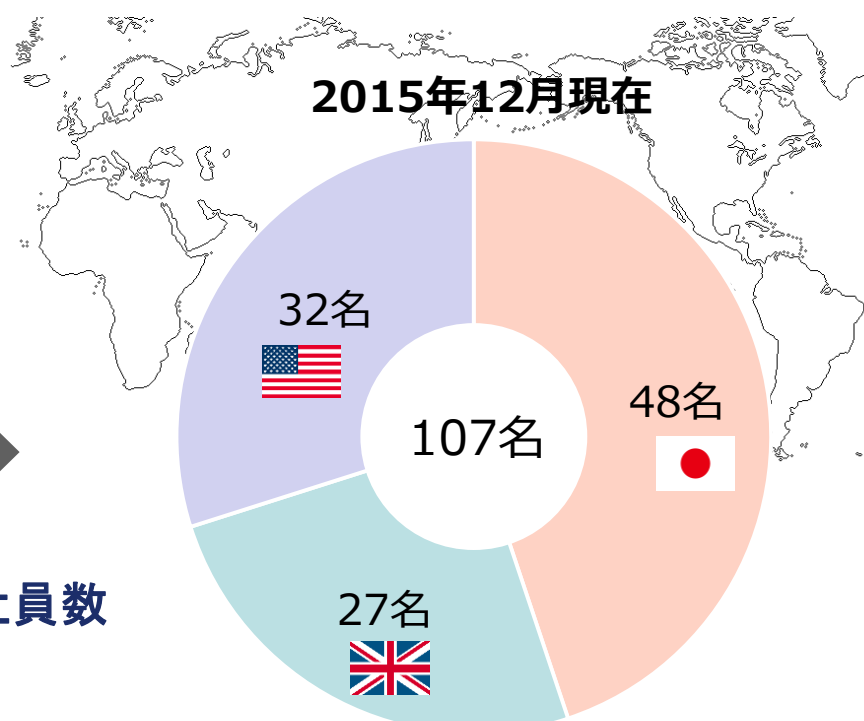
2014年9月子会社化

Reinnervate、BioServe、Stemgent、Bioptaの4社の買収を通じてグローバル展開を加速しております

2014年3月末現在



2015年12月現在



グループ社員数



REPROCELL GROUP COMPANIES

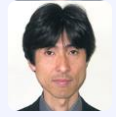
世界最先端の技術シーズを継続的に吸収し、競争力の高い新製品を開発します



Norio Nakatsuji, Ph.D. and Founder
Kyoto University



Hiromitsu Nakauchi, M.D., Ph.D. and Founder
The University of Tokyo
Stanford University School of Medicine



Atsushi Iwama, M.D., Ph.D.
Chiba University



Hiroyuki Mizuguchi, Ph.D.
Osaka University



Stefan Przyborski, Ph.D.
and CSO Durham University, UK



Rama Modali, Ph.D. and CEO
ex-molecular biologist at NIH



Daniel Anderdon, Ph.D.
Koch Institute for Integrative Cancer Research, MIT



Rudolf Jaenisch, M.D.
Whitehead Institute and MIT



Gordon Keller, Ph.D.
Ontario Cancer Institute



Robert Weinberg, Ph.D.
Whitehead Institute and MIT



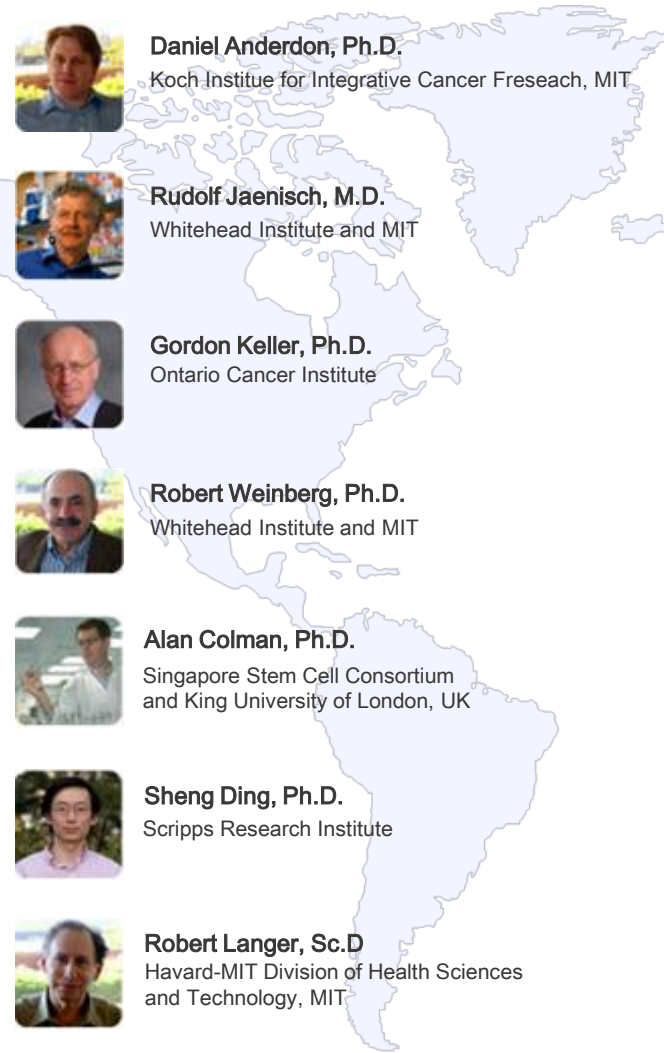
Alan Colman, Ph.D.
Singapore Stem Cell Consortium
and King University of London, UK



Sheng Ding, Ph.D.
Scripps Research Institute



Robert Langer, Sc.D.
Harvard-MIT Division of Health Sciences
and Technology, MIT



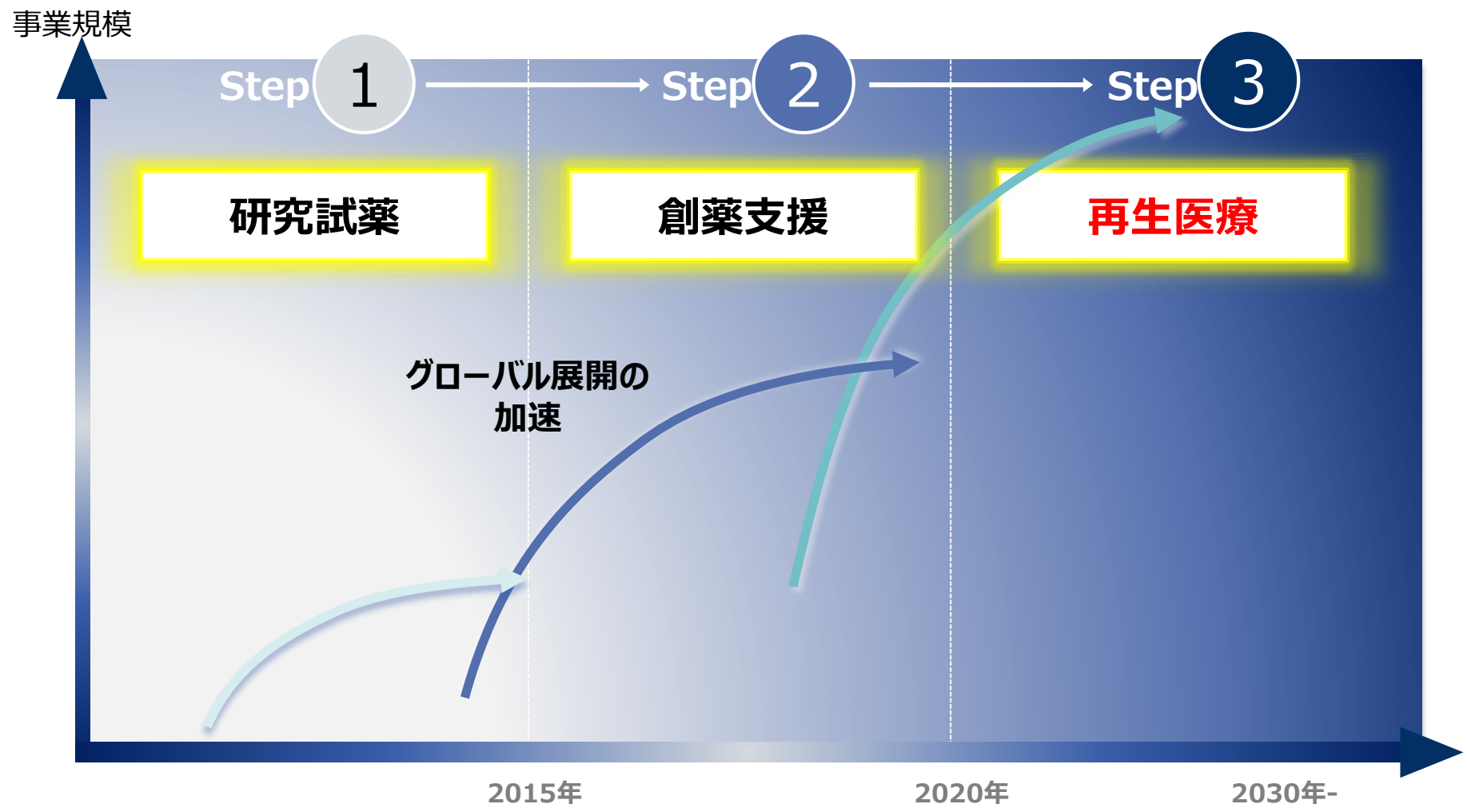
1. 2016年3月期 第2四半期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究試薬
- (2) 創薬支援
- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 第2四半期 決算概要

これまでに構築したグローバル規模での研究開発・販売体制を基盤に、再生医療へ本格的に進出してまいります



当社グループは、「研究試薬」「創薬支援」「再生医療」に事業ポートフォリオを切り分け、それぞれの領域で強かに事業を推進しております

(1) 研究試薬

- RNAリプログラミングキット
- 高機能iPS細胞培養液
 - ReproNaive、他
- DMSOフリー凍結保存液
 - ReproCryo DMSO Free
- その他研究試薬

主力
製品

(2) 創薬支援

- ヒト細胞/ヒト細胞培養液
 - 生体試料
 - ReproHP Medium、他
- ヒトiPS細胞
- ヒトiPS細胞作製サービス
- 分化細胞
 - 心筋、肝臓、神経、他
- 創薬支援アウトソーシングサービス

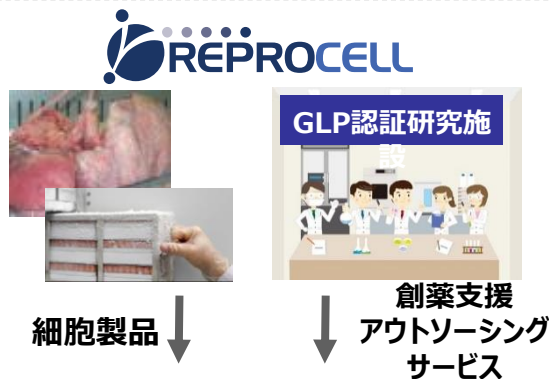
(3) 再生医療 (計画)

- 再生医療向け試薬製品
- 体性幹細胞を活用した細胞医薬品
- iPS細胞を活用した細胞医薬品

販売



大学・研究機関



製薬メーカー

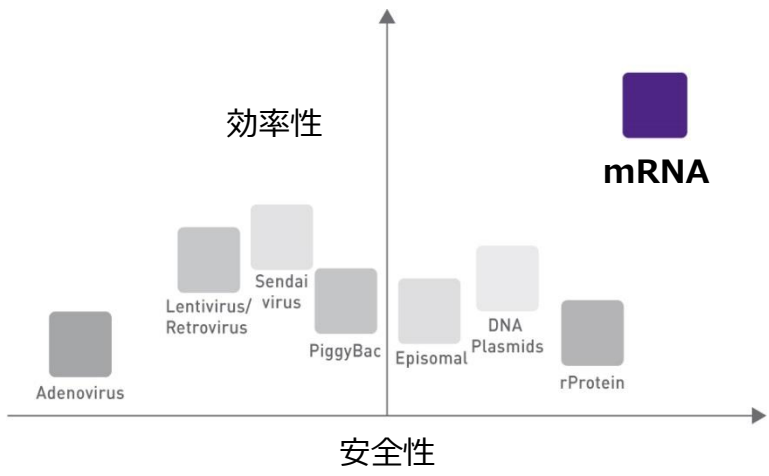


医療施設/患者

1. 2016年3月期 第2四半期 事業進捗
 - 全体像
 - (1) 研究試薬
 - (2) 創薬支援
 - (3) 再生医療
2. 2016年3月期 第2四半期 決算概要

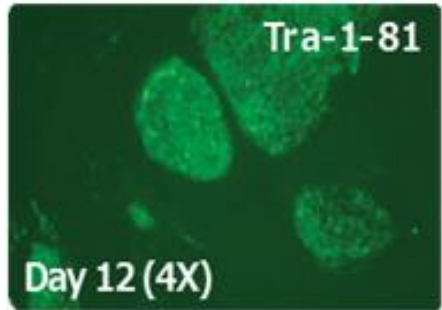
最新鋭のiPS細胞試薬製品
「mRNAリプログラミング・キット」

iPS細胞の各種作製技術における安全性・効率性比較



高い安全性と効率性を両立

- iPS細胞の作製効率が従来手法に比べ100~1,000倍に向上
- 遺伝子の組み込みもないため、高い安全性を持つ



国際的学術雑誌
「Nature Methods」への
論文掲載

Automated, high-throughput derivation, characterization and differentiation of induced pluripotent stem cells

Daniel Paull^{1,10}, Ana Sevilla^{1,10}, Hongyan Zhou^{1,10}, Aana Kim Hahn^{1,10}, Hesed Kim^{1,10}, Christopher Napolitano^{1,10}, Alexander Tsankov²⁻⁴, Linshan Shang¹, Katie Krumholz¹, Premalatha Jagadeesan¹, Chris M Woodard¹, Bruce Sun¹, Thierry Vilboux^{5,6}, Matthew Zimmer¹, Eliana Forero¹, Dorota N Moroziewicz¹, Hector Martinez¹, May Christine V Malicdan³, Keren A Weiss^{1,7}, Lauren B Vensand¹, Carmen R Dusenberry¹, Hannah Polus¹, Karla Therese L Sy¹, David J Kahler^{1,9}, William A Gahl^{1,7}, Susan L Solomon¹, Stephen Chang¹, Alexander Meissner²⁻⁴, Kevin Eggan^{2-4,8} & Scott A Noggle¹

© 2015 Nature America, Inc. All rights reserved.

Induced pluripotent stem cells (iPSCs) are an essential tool for modeling how causal genetic variants impact cellular function in disease, as well as an emerging source of tissue for regenerative medicine. The preparation of somatic cells, their reprogramming and the subsequent verification of iPSC pluripotency are laborious, manual processes limiting the scale and reproducibility of this technology. Here we describe a modular, robotic platform for iPSC reprogramming enabling automated, high-throughput conversion of skin biopsies into iPSCs and differentiated cells with minimal manual intervention. We demonstrate that automated reprogramming and the pooled selection of polyclonal pluripotent cells results in high-quality, stable iPSCs. These lines display less line-to-line variation than either manually produced lines or lines produced through automation followed by single-colony subcloning. The robotic platform we describe will enable the application of iPSCs to population-scale biomedical problems including the study of complex genetic diseases and the development of personalized medicines.

Despite these opportunities, several limitations remain. Variation between iPSCs can affect functional properties in disease modeling. To date, most reports have relied on studying a small number of iPSCs derived from individuals harboring highly penetrant genetic variants. If stem cells are to facilitate studying important but common genetic variants of modest effect size¹, minimizing biological and technical variance will be essential. Furthermore, many differentiation protocols have been optimized using a small number of cell lines and replicating these protocols across multiple lines has proven challenging². Solving these problems could improve experimental power for resolving the phenotypic contribution to a given genetic variant.

A number of factors have been reported to influence the efficiency of reprogramming and the performance of iPSCs, including genetic background, tissue source³, reprogramming factor stoichiometry⁴ and culture-related stress⁵. Furthermore, a lack of standardization in methodology between laboratories likely introduces further variability⁶. While previous work has automated the expansion of individual lines¹⁰⁻¹³, we reasoned that developing a fully automated, modular platform for parallel iPSC derivation,

当社RNAリプログラミングキットが使用され高いパフォーマンスを実証

プライム型からナীব型へ
世界初の製品化！
ナীব型ヒトiPS細胞への
誘導・維持培地



Repro
Naïve

2015年6月
販売開始

プライム型iPS細胞からナীব型iPS細胞を培地交換のみで誘導し、遺伝子改変は不要。
非常に簡単にナীব型iPS細胞を誘導・維持することが可能。

細胞増殖の比較



増殖曲線

今までに無い 凍結保存液

DMSO Free
Xeno free
Chemically defined

ReproCryo
DMSO Free™



京都大学再生医科学研究所が発明したDMSO不含の凍害保護液を未分化ヒトES/iPS細胞の凍結保存に適用することで製品化。

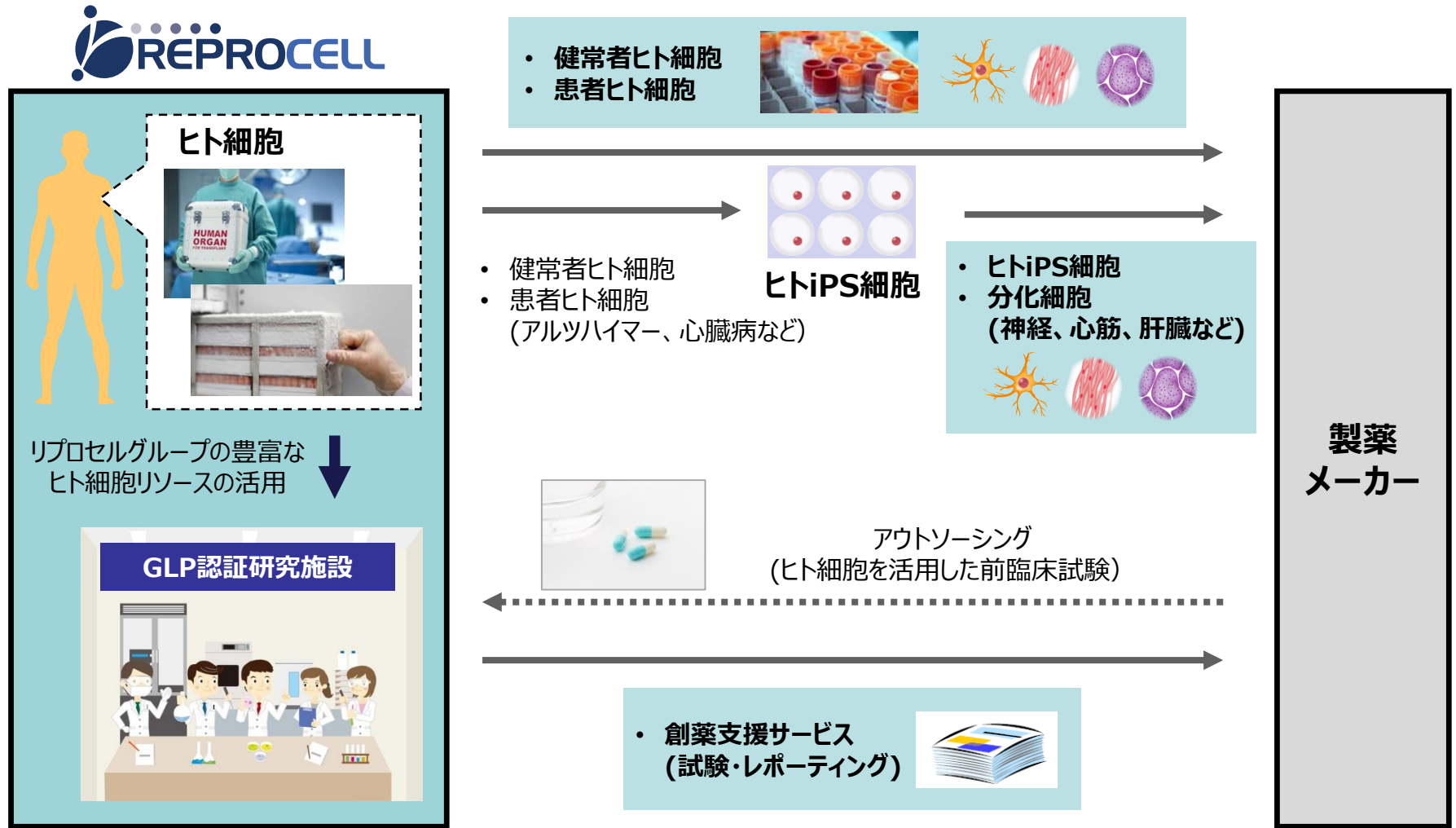
※特許申請中

2015年8月
販売開始

- ・動物由来成分を含まずに既知の成分のみで構成
- ・DMSOフリーで、今後のGMPグレード製品化により、再生医療に適用可能
- ・凍結融解後の立ち上がりが高く、生存率も良好

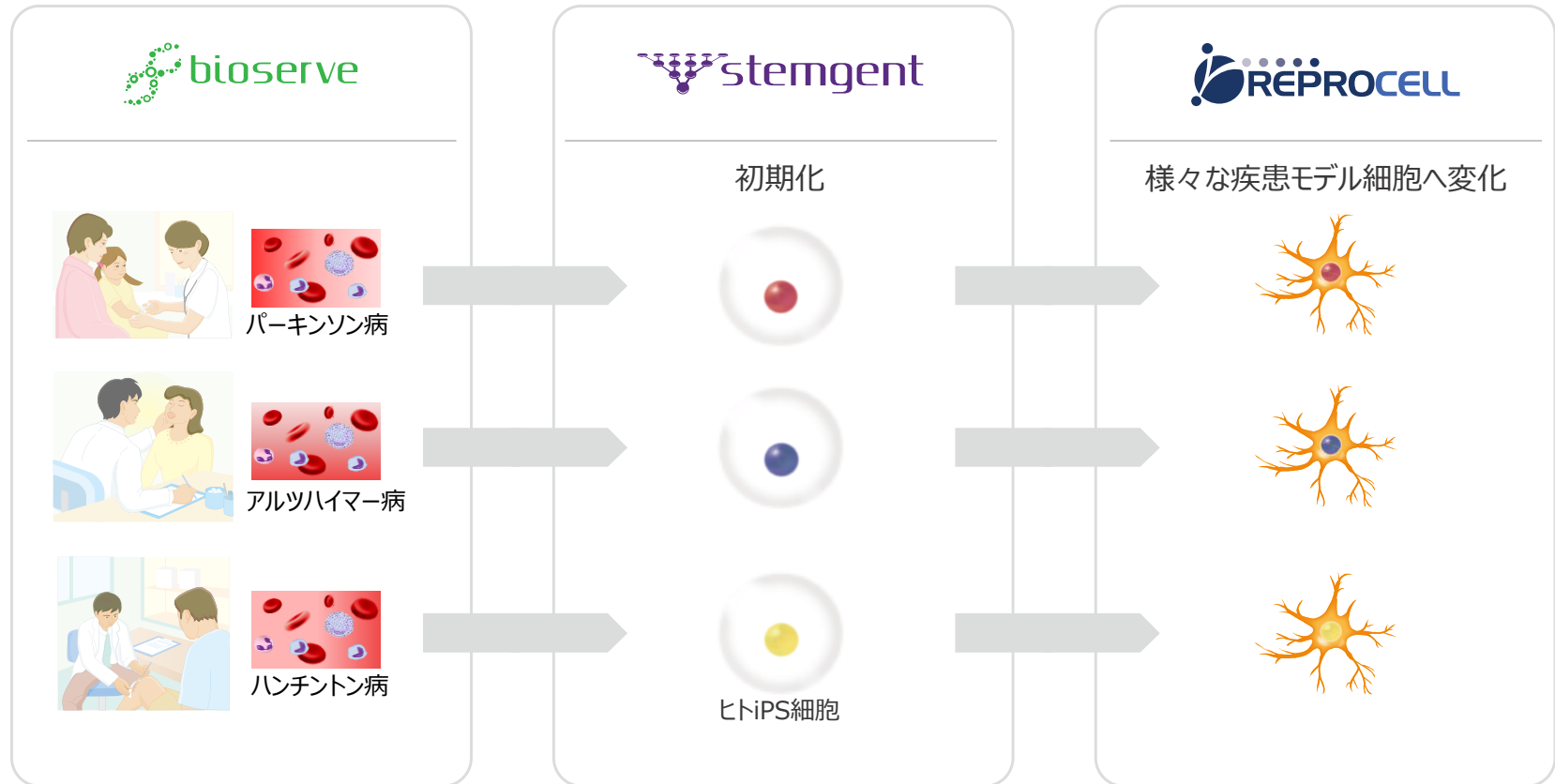
1. **2016年3月期 第2四半期 事業進捗**
 - 全体像
 - (1) 研究試薬
 - (2) 創薬支援
 - (3) 再生医療
2. **2016年3月期 第2四半期 決算概要**

製薬メーカー向けの創薬支援ビジネスは、「細胞製品」と「創薬支援サービス」の提供があり、当社グループはその双方をカバーしております



(2)創薬支援 _ 患者由来の細胞製品

リプロセルグループの技術力を結集することで、様々な疾患モデル細胞を顧客に提供可能であり、創薬スクリーニングや疾患モデルの研究開発に応用です



当社グループの最先端培養技術と組み合わせ、競争優位性の高い事業化を早期に目指します

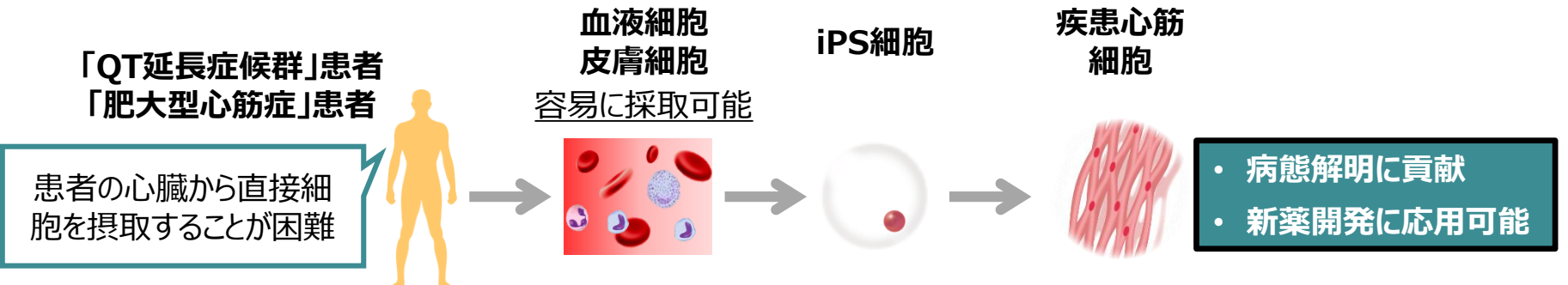
遺伝子性の心臓病「QT延長症候群」及び「肥大型心筋症」 疾患iPS細胞由来の心筋細胞 独占販売ライセンス契約



慶應義塾大学

独占販売権
早期の事業化を目指す

病態再現の
技術開発に成功



QT延長症候群：不整脈で突然死につながる可能性のある遺伝性の心臓病。患者心電図のQTといわれる波形の部分が健康なヒトよりも長いという特徴があります。

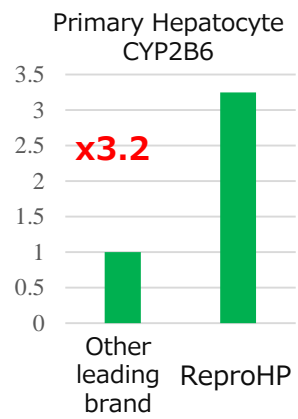
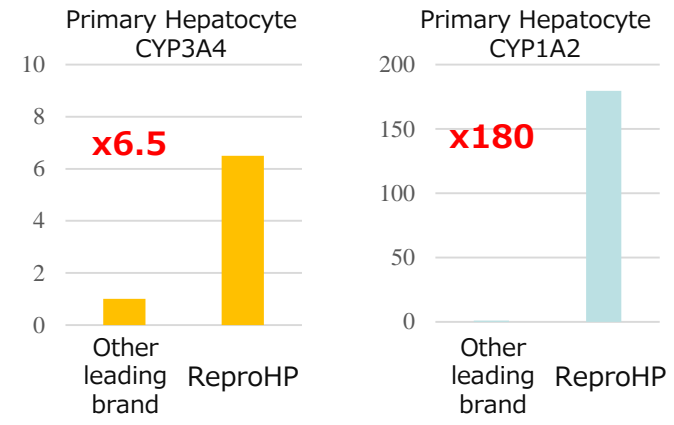
初代培養肝細胞の代謝酵素の
活性を高く維持する培地

ReproHP Medium™

高活性
高感度
安定性

2015年12月
販売開始予定

■ CYP Activity of Primary Hepatocyte



* 縦軸はOther leading brandのVehicle群を1とする。

2015年12月14日より、Biopta Limited は Reprocellグループの一員(100%子会社) となります



Biopta Limitedは、鮮度の高いヒト組織・臓器をイギリス・アメリカ全土から調達し、それを活用した**創薬支援サービス (アウトソーシング)** を大手製薬メーカーに提供しております。

社名 : Biopta Limited

CEO : David Bunton



設立年 : 2002年

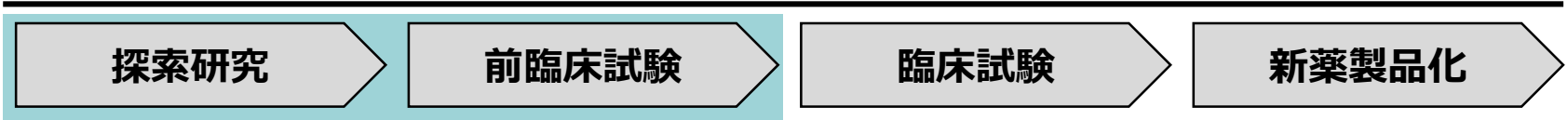
所在地 : 英国グラスゴー

子会社 : Biopta Inc. (米国)

従業員数 : 18名 (グループ)

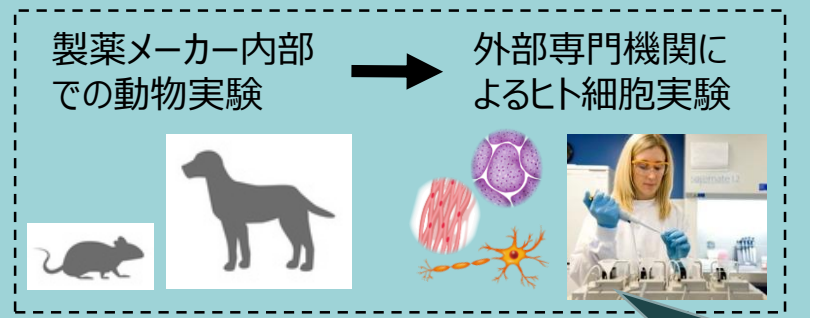
(2)創薬支援 _ 創薬支援サービスについて

製薬メーカーの創薬プロセス



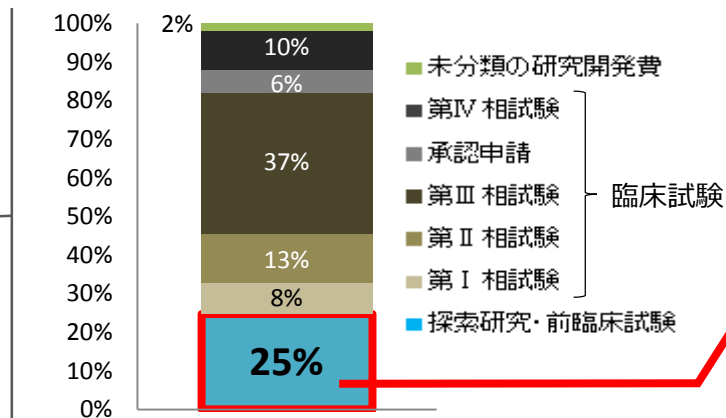
創薬支援サービス（アウトソーシング） 市場の急速な拡大

- 高コストな動物実験から、ヒト組織・臓器を活用したより高精度の実験へと置き換えが加速
- ヒト細胞を用いた実験は専門技術や設備を要するため、外部の専門機関への委託が拡大



**Biopotaの
主力事業**

製薬メーカーの創薬プロセス別R&D費内訳



世界の製薬メーカー
全体の創薬R&D費用
年間約7兆円

創薬支援サービスの
潜在市場規模
(グローバル)
約1.75兆円

出所：PhRMA：Industry Profileを基にリプロセル作成

(2)創薬支援 _ Bioptaの競争優位性

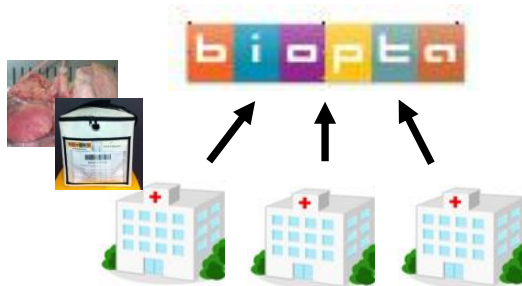
Bioptaは、細胞の調達から前臨床試験業務までを一貫して行う創薬支援サービスを先駆的に展開しており、高い技術力に裏打ちされた確固たる競争優位性と実績を有しております

Bioptaの主力事業：創薬支援サービス（CROサービス）

CRO(Contract Research Organization)とは、製薬会社が医薬品開発の為にを行う前臨床試験業務を受託・代行する 開発業務受託機関を指します

ヒト組織・臓器の調達

- 鮮度の高いヒト組織・臓器をタイムリーに調達できるネットワークを英米を拠点に構築しています

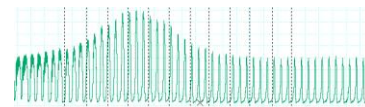
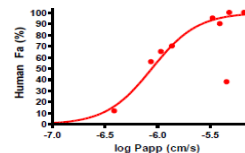


英国14医療施設との提携

米国全土からの調達ネットワーク

GLP認定設備と高い技術力による検査・治験

- GLP (Good Laboratory Practice) に認定された設備・体制を整備し、それを運用する高い技術力・ノウハウを蓄積しています



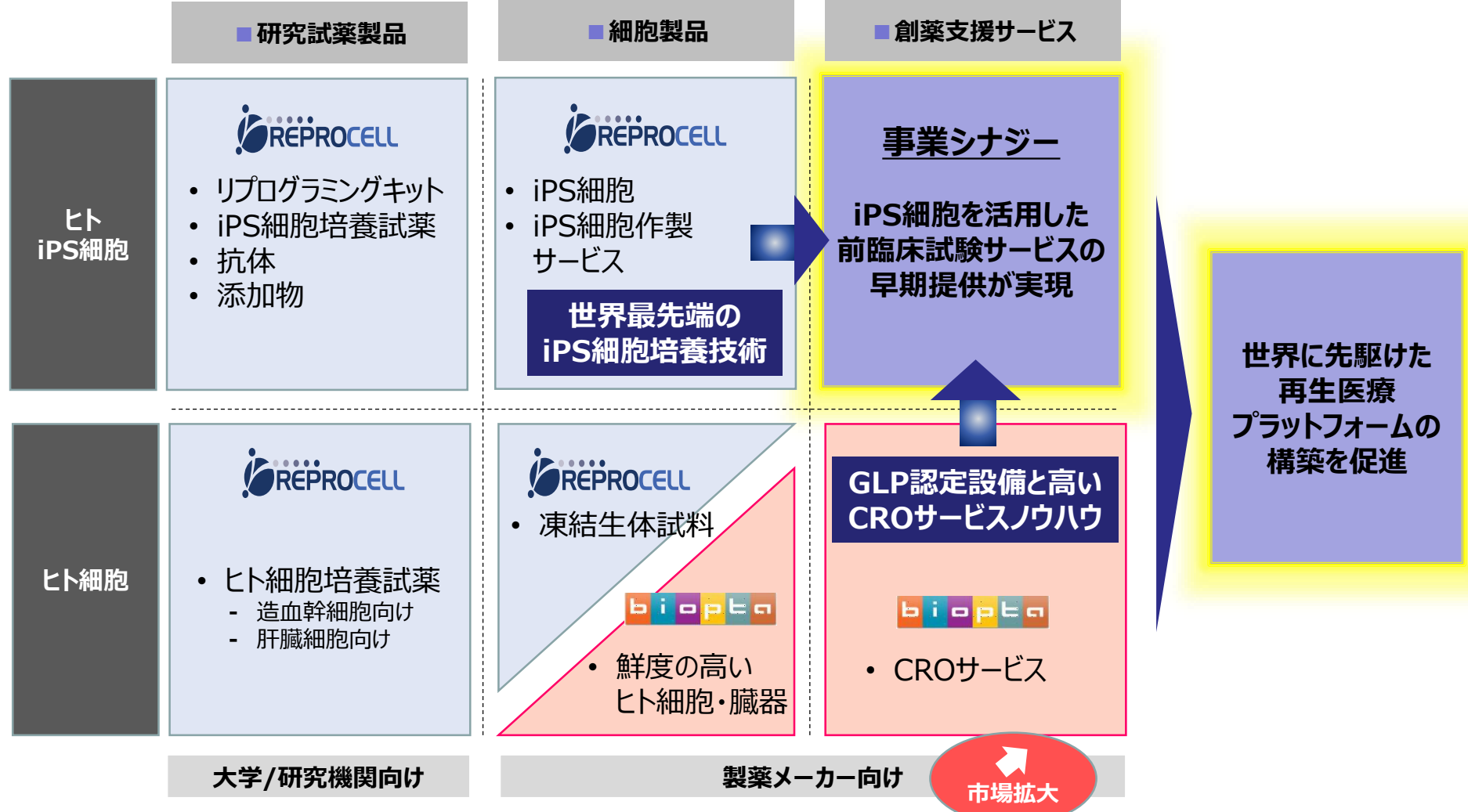
※GLP：検査・治験の信頼性を担保する上で遵守すべきガイドライン

大手製薬メーカーへの提供ネットワーク

- グローバルに展開するメガファーマ **売上上位10社中8社との取引実績**を誇り、強固な顧客基盤を形成しております



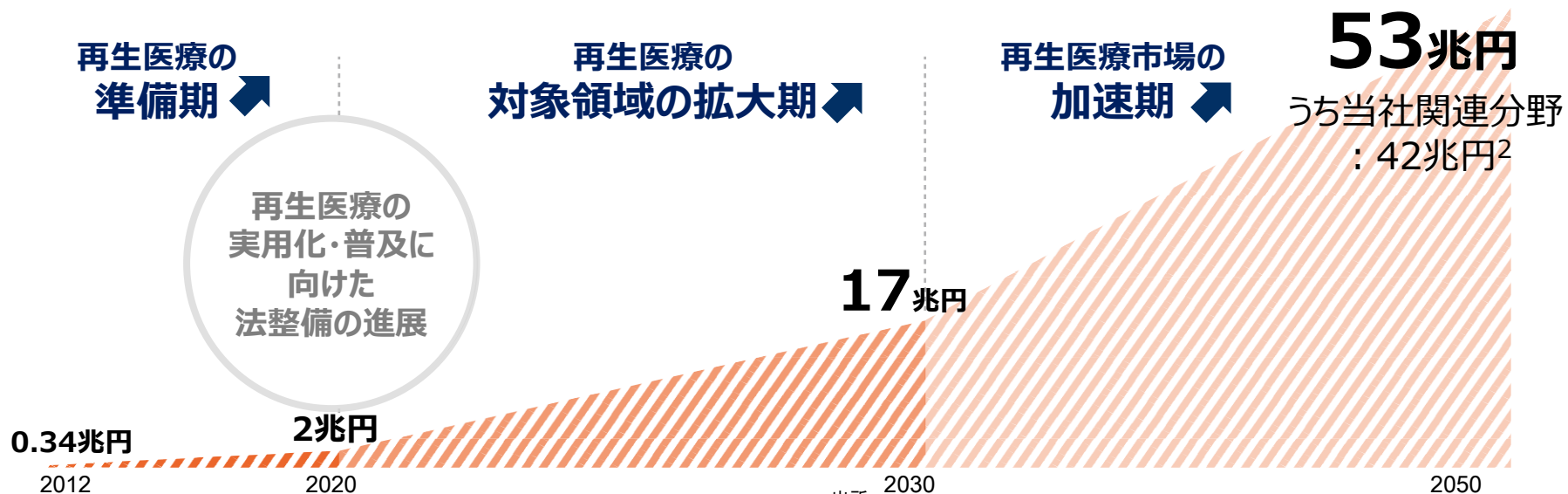
両社の事業優位性を相乗的に生かし、創薬支援サービスの領域で前例のない新規事業を立ち上げてまいります



1. 2016年3月期 第2四半期 事業進捗
 - 全体像
 - (1) 研究試薬
 - (2) 創薬支援
 - (3) 再生医療
2. 2016年3月期 第2四半期 決算概要

再生医療市場は2050年に53兆円に達すると見込まれています

■世界の再生医療市場の成長¹



出所:

1. 経産省「再生医療の実用化・産業化に関する研究会の最終報告」
2. 平成24年度 中小企業支援調査（再生医療の実用化・産業化に係る調査事務等）報告書

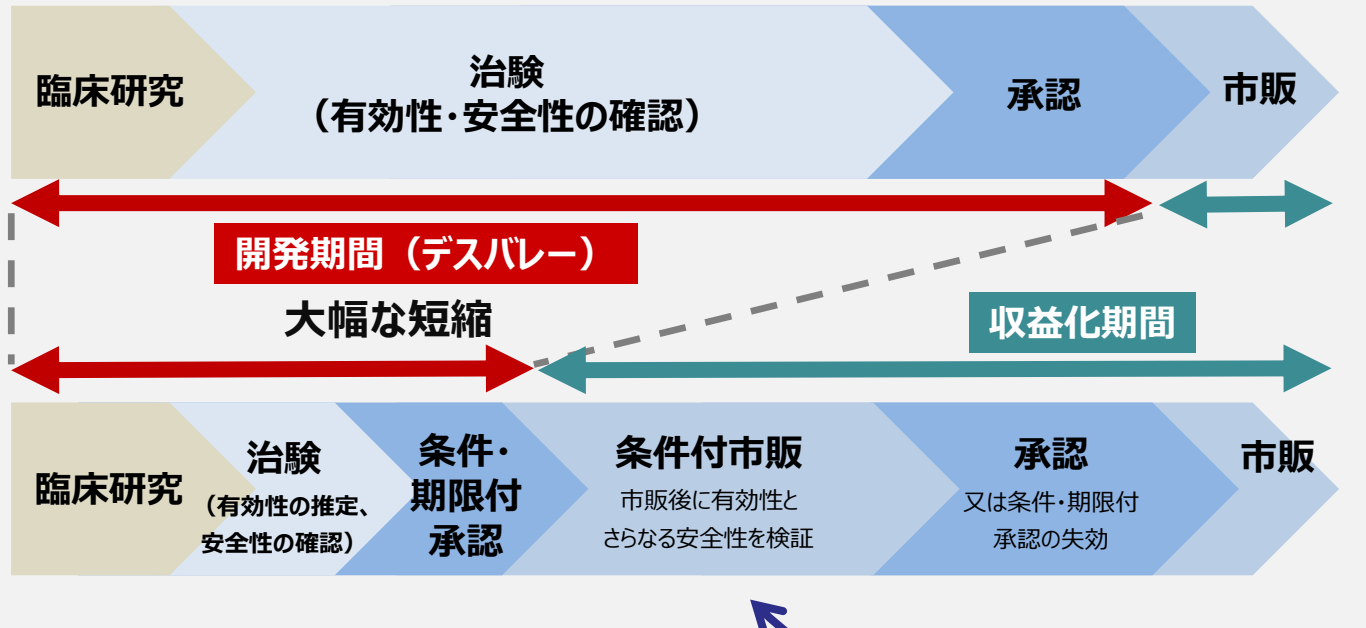
■リプロセルグループの長期ビジョン



(3)再生医療 _ 再生医療関連法の施行による影響

収益化までの「デスバレー」が大幅に短縮された日本市場は、海外の有力ベンチャーにとって魅力的なマーケットであり、その事業進出を促進する当社ベンチャーファンドが大きな役割を果たしています

再生医療等製品の実用化に対応した承認制度（条件・期限付承認）



- 海外の有力バイオベンチャーが、法整備が進む日本市場に大きく関心を寄せている

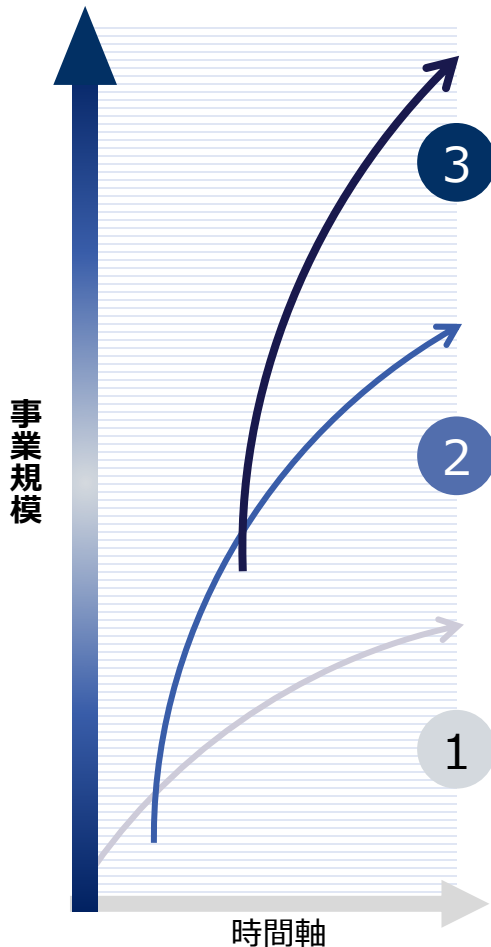
※厚生労働省「薬事法の一部を改正する法律の概要」を参考にリプロセル作成



「Cell Innovation Partners, L.P.」
日本市場と海外有力ベンチャーを繋ぎ、
新たな事業化の実現を目的とするベンチャーファンド
(リプロセルグループと新生銀行グループの共同設立)

体性幹細胞技術との連携も視野に入れ、再生医療分野の事業フィジビリティの高い領域から積極的に展開してまいります

■再生医療進出のロードマップ



3 **iPS細胞を
活用した
細胞医薬品への展開**

■展開の方向性

当社グループの
最先端培養技術
の応用

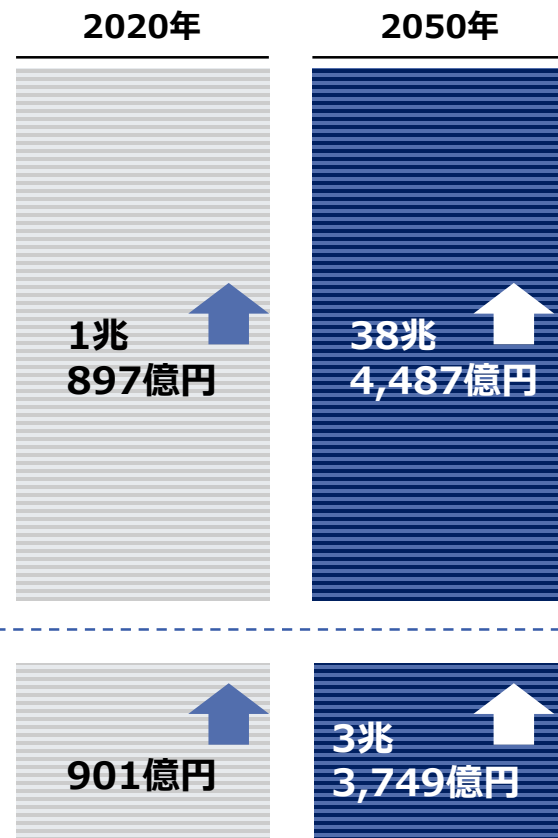
2 **体性幹細胞を
活用した
細胞医薬品への展開**

共同ベンチャーファンド
「Cell Innovation
Partners, L.P.」の
投資先との技術連携

1 **再生医療向け
培地・試薬製品への
展開**

当社グループの
最先端培養技術
の応用

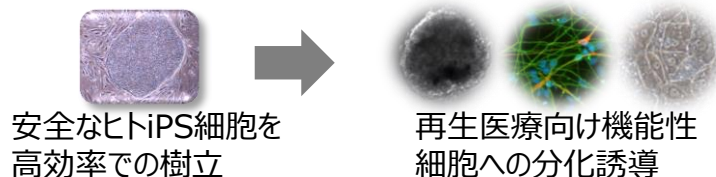
■世界市場規模（予測）



出所：平成 24 年度 中小企業支援調査
(再生医療の実用化・産業化に係る調査事務等) 報告書

リプロセルグループは再生医療への早期参入に向けて、複数の技術・製品開発を連続的に進めております

RNAリプログラミングキット



- GMP化による再生医療への応用が可能なiPS細胞作製技術

ReproCryo DMSO free



- 臨床応用可能なiPS細胞の凍結保存液

GLP認可設備



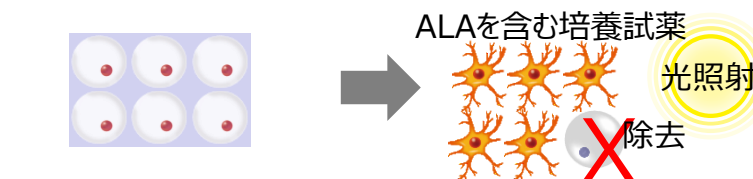
- Biopta社のGLP認証設備/運用ノウハウ

造血幹細胞の増幅技術



- 臍帯血移植の新たな治療方法（日米で特許成立）

5-アミノレブリン酸 (ALA)応用技術



- 臨床試験への応用が可能な残留iPS細胞除去技術

リプロセルグループの優位性を最大限に生かし、再生医療におけるリーディングカンパニーを目指します

先端のiPS細胞培養技術を
土台とした豊富な製品ラインアップ

世界規模の販売チャネル

世界的な研究ネットワーク

東京大学

ハーバード
大学

ReproCELL Group

reinnervate

REPROCELL

bioserve

stemgent

ダーラム
大学

マサチュー
セッツ工科
大学

京都大学

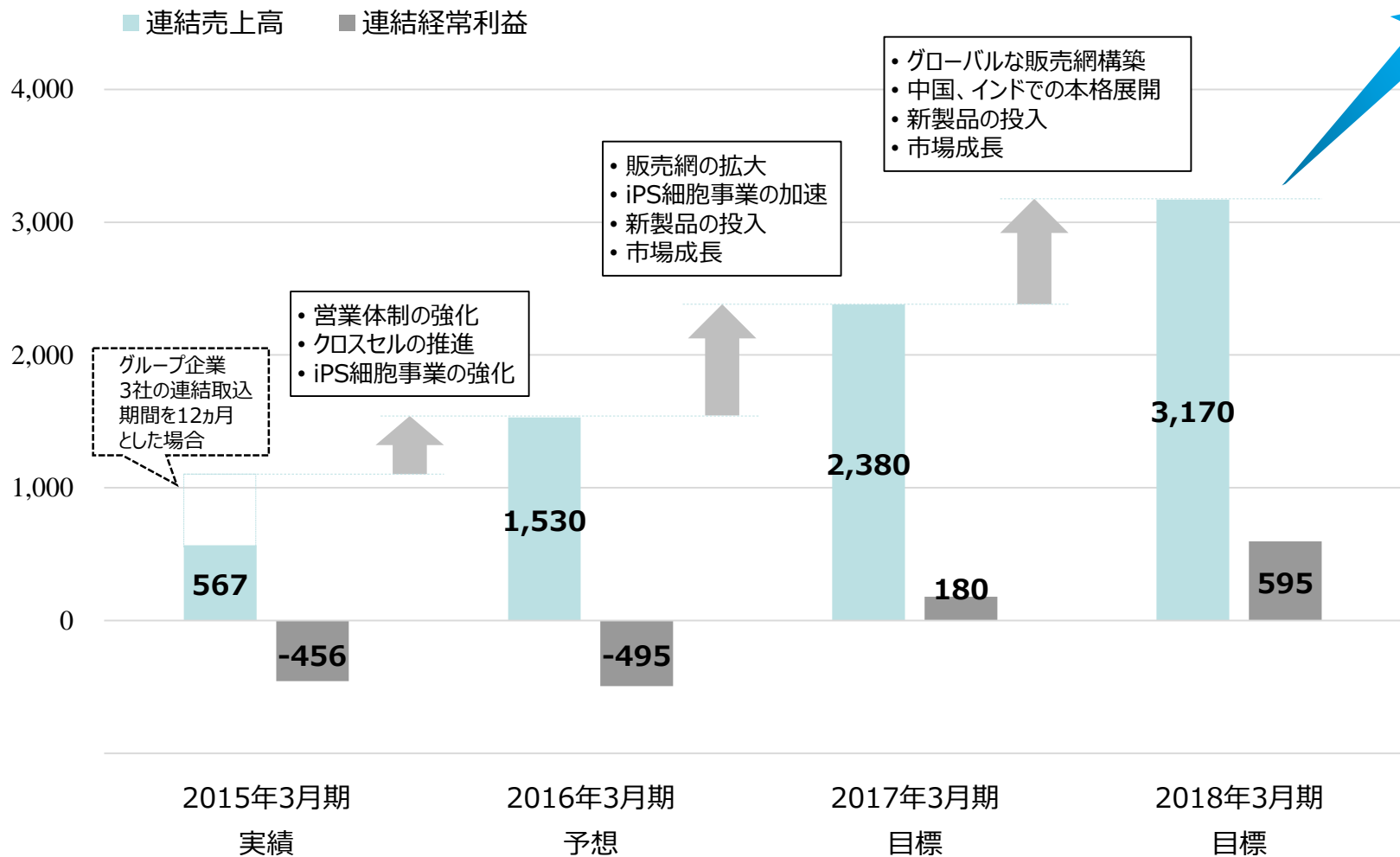
慶應義塾
大学

1. 2016年3月期 第2四半期 事業進捗

- 全体像
- (1) 研究試薬
- (2) 創薬支援
- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 第2四半期 決算概要

(単位：百万円)



(単位：百万円)

	2015年3月期 第2Q通期実績	2016年3月期 第2Q通期実績	増減	
			金額	比率
売上高	189	539	350	285.2%
売上総利益	98	299	201	305.1%
販売費及び一般管理費	290	725	435	250.0%
うち、研究開発費	71	131	60	184.5%
営業利益又は損失(△)	△192	△425	△233	—
経常利益又は損失(△)	△127	△406	△279	—
四半期純利益又は損失(△)	△129	△398	△269	—

- ▶ 前年同期におけるグローバル展開の進展により、全体の売上高は対前年同期比285.2%増と大幅に伸長。主力の研究試薬製品の売上高は国内の試薬製品市場において比較的高いシェアを維持し、グローバル市場においても堅調に販路を拡大した。また、細胞製品についても売上は確実に増加しており、アルツハイマー病疾患神経細胞「ReproNeuro AD-patient」を新たに投入するなど主力製品の拡充により、下半期に向けた更なる拡大が見込まれる。
- ▶ 販管費においてはのれん償却費等の計上により、営業損失は前年同期比増となった。
- ▶ 経常損失及び四半期純損失は前年同期比増となった。

(単位：百万円)

	2015年3月末		2015年9月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	5,359	70.6%	5,521	72.8%	162
固定資産	2,234	29.4%	2,061	27.2%	-173
総資産	7,594	100.0%	7,582	100.0%	-12
流動負債	299	3.9%	324	4.3%	25
固定負債	209	2.8%	202	2.7%	-7
純資産	7,085	93.3%	7,055	93.0%	-30
負債及び純資産	7,594	100.0%	7,582	100.0%	-12

【第三者割当新株予約権の行使による増資】

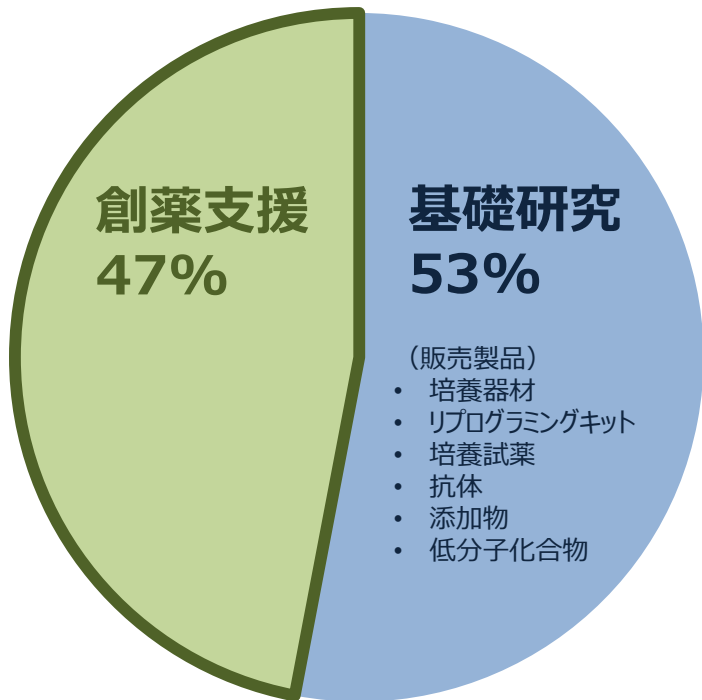
Evolution Biotech Fundを割当先として、総額398百万円の資金を調達。

【のれん】

前年度に連結化したReinnervate、BioServe、Stemgentののれん償却額は66百万円（定額法・期間10年）。

固定資産としてののれん残額は、1,221百万円。

製品別売上高



(販売製品)

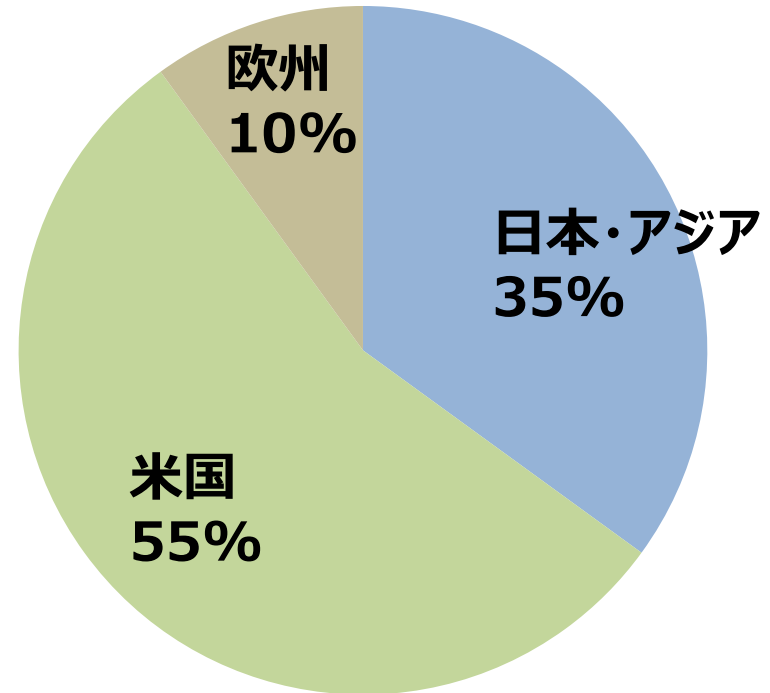
- 生体試料
- 分子検査サービス
- iPS細胞
- iPS細胞作製サービス
- iPS由来の心筋、肝臓、神経細胞製品
- カスタムメイド細胞製品の作製受託

基礎研究
53%

- (販売製品)
- 培養器材
 - リプログラミングキット
 - 培養試薬
 - 抗体
 - 添加物
 - 低分子化合物

創薬支援
47%

エリア別売上高



欧州
10%

日本・アジア
35%

米国
55%

欧米の主要市場を担うグループ会社3社の売上拡大を見込む

本資料は当社の会社内容を説明するために作成されたものであり、投資勧誘を目的に作成されたものではありません。

本資料における、業績予想ならびに将来予測は、本資料作成時点で入手可能な情報を基づき当社が判断したものであり、顕在化・潜在的なリスクや不確実性が含まれております。そのため、将来の経済環境の変化等の様々な要因により、実際の事業の状態・業績等は影響を受けることが予想され、当社はその正確性、完全性を保証するものではありません。

本資料は、投資家ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものであり、当社はいかなる場合においてもその責任を負いません。

当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は、投資家ご自身の判断において行われるようお願いいたします。

株式会社リプロセル

経営管理部

〒222-0033

神奈川県横浜市港北区新横浜三丁目8-11

KDX新横浜381ビル 9F

TEL 045-475-3887 FAX 045-474-1006

e-mail investors@reprocell.com

HP <https://www.reprocell.com>