



東証JASDAQ 4978

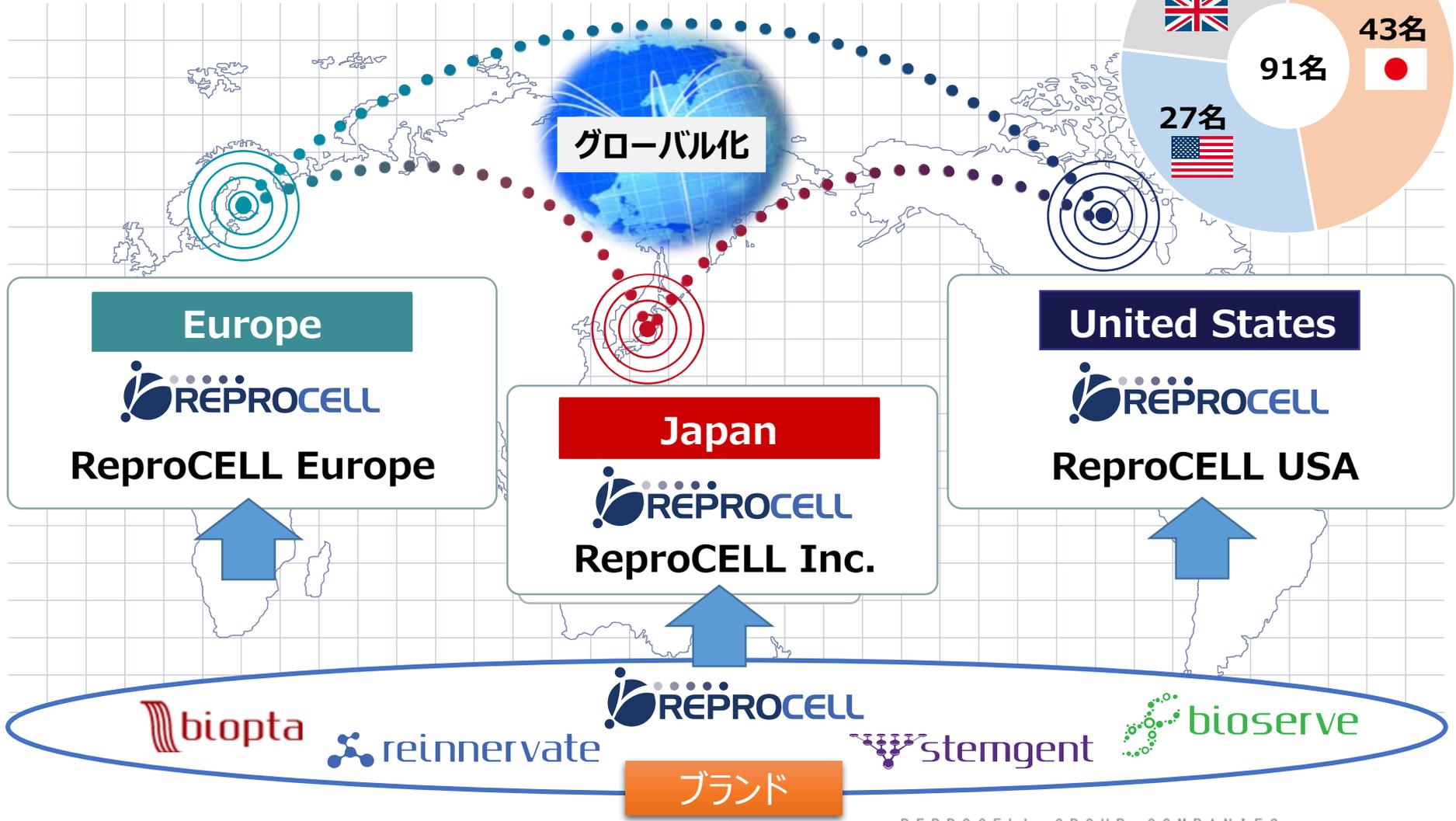
株式会社リプロセル

2016年3月期 事業説明会

2016年6月24日

当社の事業進捗

- **iPS細胞事業の研究開発の加速**
- **創薬支援・再生医療分野のポートフォリオ拡充**
- **機能統合による研究開発及び営業体制の強化**



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



Wado Akamatsu, Ph.D.
Juntendo University



Hiroshi Yagi, 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



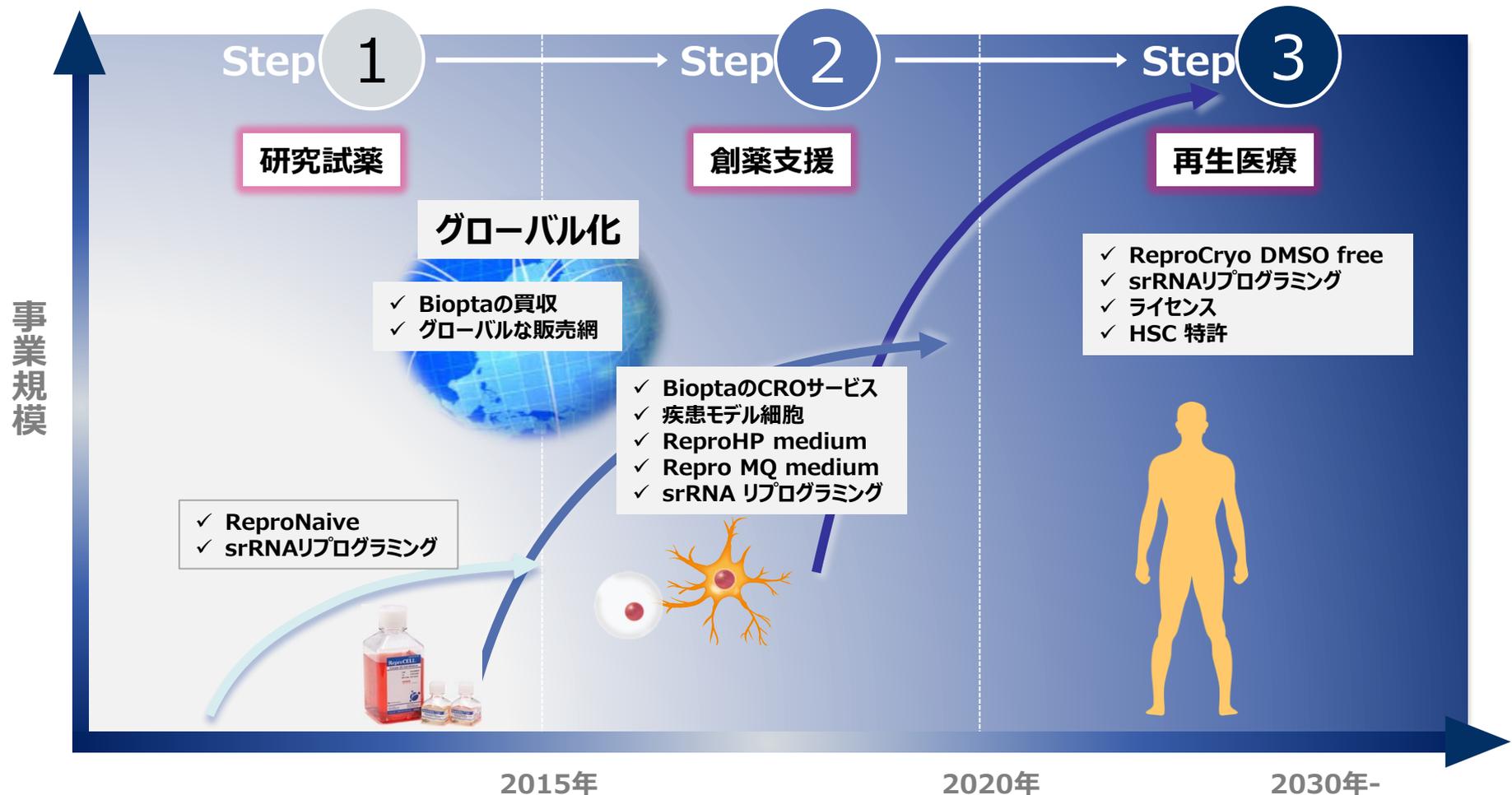
1. 2016年3月期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究試薬
- (2) 創薬支援
- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 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



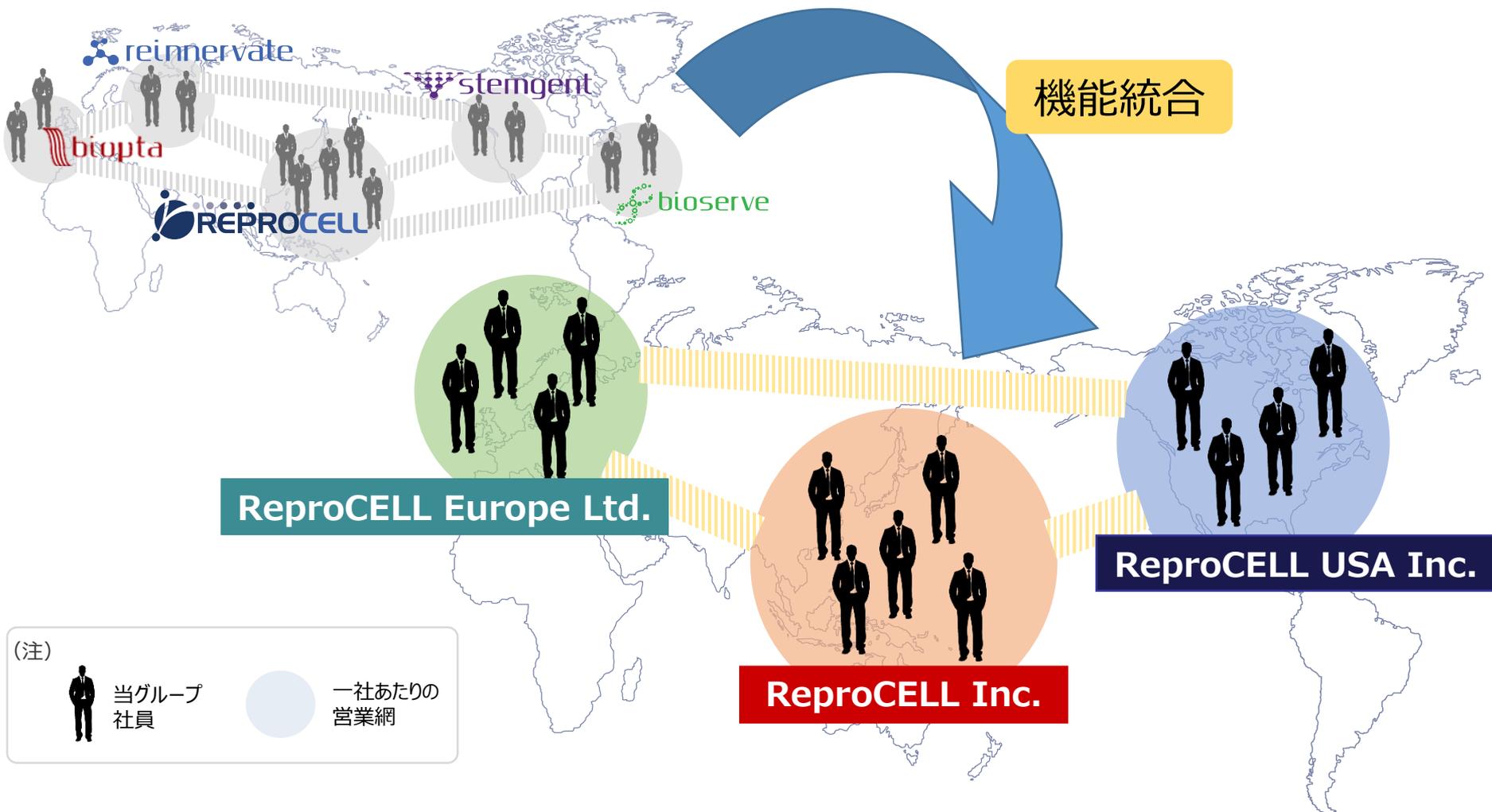
当社グループは、「研究試薬」「創薬支援」「再生医療」に事業ポートフォリオを切り分け、それぞれの領域で強かに事業を推進しております



当社グループの製品は、研究用から再生医療用までまたがっており、さまざまな現場でご使用いただいております

	研究用	創薬支援用	再生医療用
培地試薬	NEW ReproCRYO DMSO free		
	NEW bFGF Xeno free		
		NEW ReproHP	ReproHSC
	NEW ReproNaïve	NEW ReproNeuroMQ	ALA <small>ALAを含む培養試薬 除去</small>
細胞製品	iPS細胞		→ (将来展開予定)
	MEF	iPS分化細胞	→ (将来展開予定)
		NEW 疾患モデル細胞	
サービス		NEW iPS受託サービス	→ (将来展開予定)
		NEW 創薬支援サービス	

各ブランドが持つ最先端技術のシナジーによる新製品開発を加速します。
また、営業拠点を日米英に一拠点ずつ配置することで販売体制を効率化してまいります。



(注)
当グループ社員
一社あたりの営業網

1. 2016年3月期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究試薬

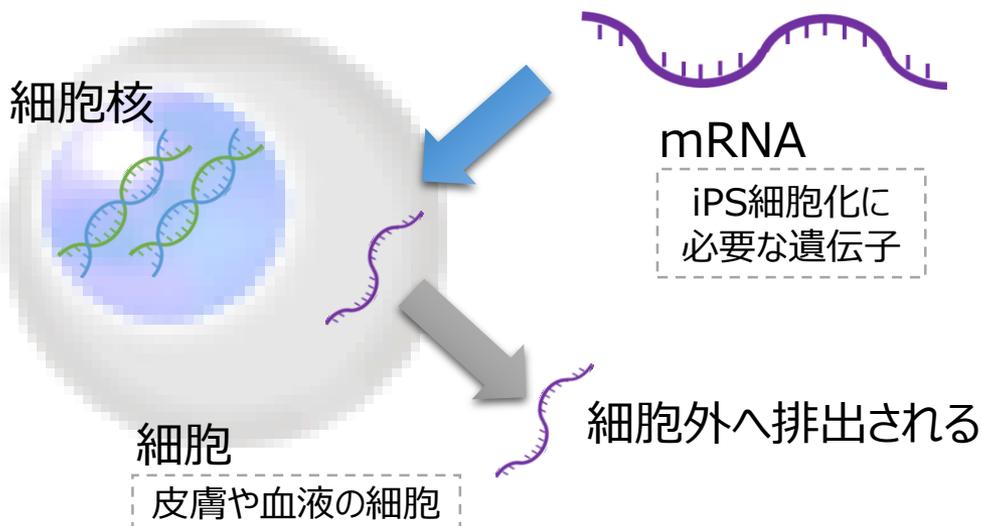
- (2) 創薬支援

- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 決算概要

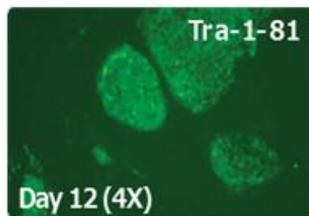
研究 創薬 再生

最新鋭のiPS細胞試薬製品 「mRNAリプログラミング・キット」



高い安全性をもつリプログラミング方法

- 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}, Heseo 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 Malicdan⁵, Keren A Weiss^{1,9}, Lauren B Vensand¹, Carmen R Dusenberry¹, Hannah Polus¹, Karla Therese L Sy¹, David J Kahler^{1,9}, William A Gahl^{5,7}, 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 size⁴, 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 challenging⁷. 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 source⁶, reprogramming factor stoichiometry⁷ and culture-related stress⁸. Furthermore, a lack of standardization in methodology between laboratories likely introduces further variability⁹. 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

研究

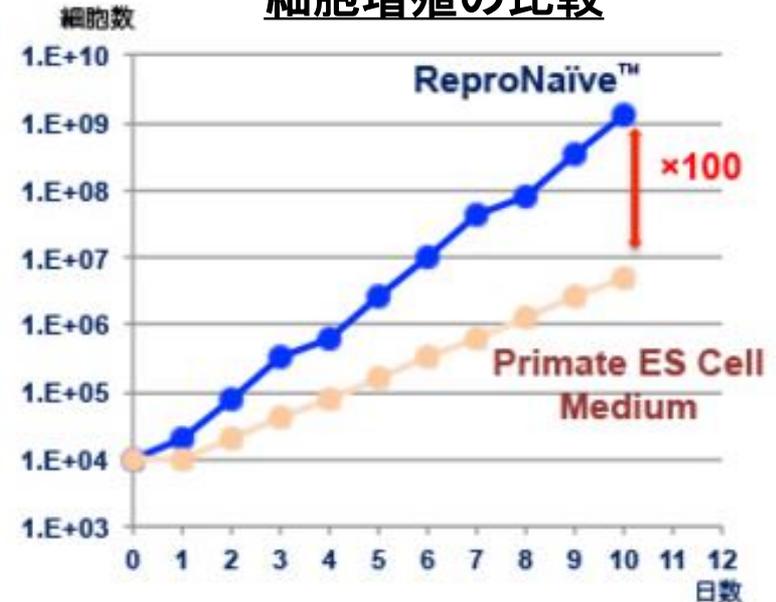
プライム型からナীব型へ
世界初の製品化！
ナীব型ヒトiPS細胞への
誘導・維持培地



Repro
Naïve

2015年6月
販売開始

細胞増殖の比較



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。

研究

創薬

再生

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

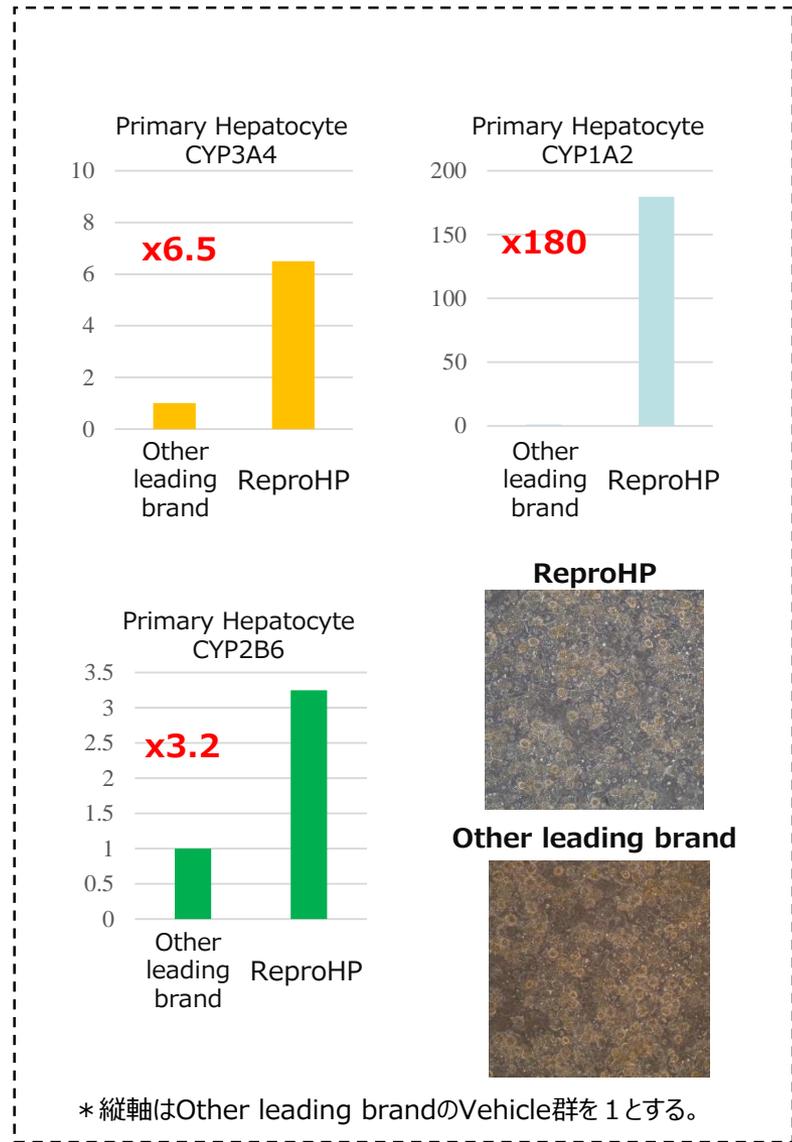
研究 創薬

初代培養肝細胞の代謝酵素の
活性を高く維持する培地

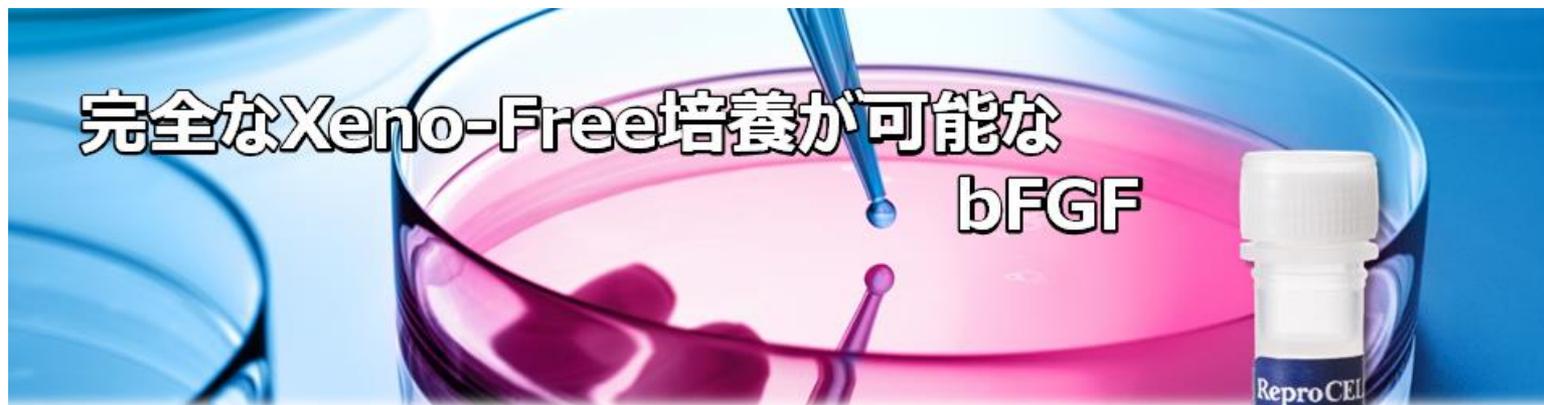
ReproHP Medium™

高活性
高感度
安定性

2015年12月
販売開始



研究 創薬 再生



完全なXeno-Free培養が可能な
bFGF

bFGF (Xeno-Free)

未分化ヒトES/iPS細胞の培養に必要な成分であるbFGFを、動物成分を一切使用せず製品化。安全性の高い完全なXeno-free培養が可能。

2016年3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
- ・今後のGMPグレード製品化により、欧米でも再生医療に適用可能
- ・従来品同様にヒトiPS細胞の未分化維持にて品質確認済み

1. 2016年3月期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究試薬

- (2) 創薬支援

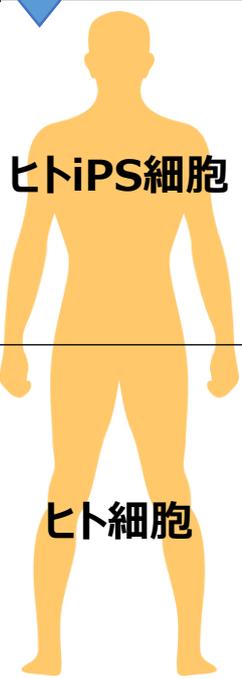
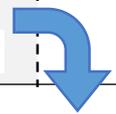
- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 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



ヒト細胞実験



	細胞製品	創薬支援サービス
ヒトiPS細胞	<ul style="list-style-type: none"> ヒトiPS細胞 分化細胞 (神経、心筋、肝臓など) 疾患モデル細胞 (アルツハイマー病など) <p>ヒトiPS細胞 → 分化細胞</p>	<ul style="list-style-type: none"> ヒトiPS細胞作製サービス 患者由来iPS細胞作製サービス (アルツハイマー病、心臓病など) <p>患者様 → ヒトiPS細胞</p>
ヒト細胞	<ul style="list-style-type: none"> 健常者ヒト細胞 患者ヒト細胞 	<p>NEW</p> <ul style="list-style-type: none"> ヒト細胞を活用した前臨床試験 (GLP適合)

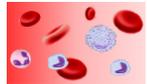


創薬支援サービス (アウトソーシング) 市場の急速な拡大

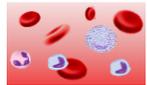
- 高コストな動物実験から、ヒト組織・臓器を活用したより高精度の実験へと置き換えが加速
- ヒト細胞を用いた実験は専門技術や設備を要するため、外部の専門機関への委託が拡大

(2) 創薬支援_患者由来の細胞製品

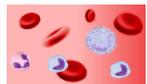
当社グループの技術力を結集することで、様々な疾患モデル細胞を顧客に提供可能であり、創薬スクリーニングや疾患モデルの研究開発に応用可能です



パーキンソン病



アルツハイマー病



ハンチントン病



初期化



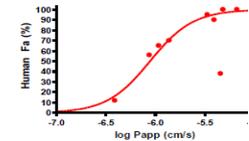
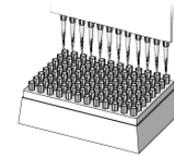
ヒトiPS細胞

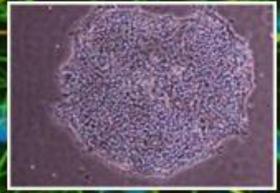


様々な疾患モデル細胞へ変化



創薬スクリーニング





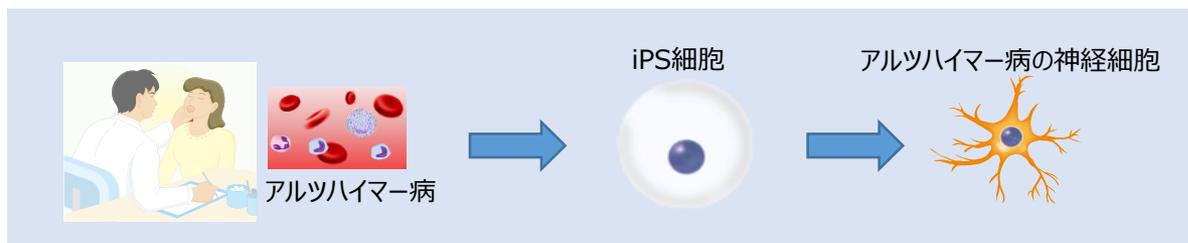
ReproNeuro

AD-patient 1



アルツハイマー病患者（男性）より採取した細胞からiPS細胞を樹立し、
神経前駆細胞へと分化誘導しました

**2015年8月
販売開始**



・アルツハイマー病の研究開発を加速させ、効果の高い治療方法・治療薬の開発を促進します

当社と慶応義塾大学、順天堂大学による共同事業が京浜臨海部ライフイノベーション国際戦略総合特区「横浜プロジェクト」に採択されました

患者から作製したiPS 細胞由来神経細胞を用いた
創薬支援のためのアプリケーション開発

 **REPROCELL**
早期の事業化を目指す



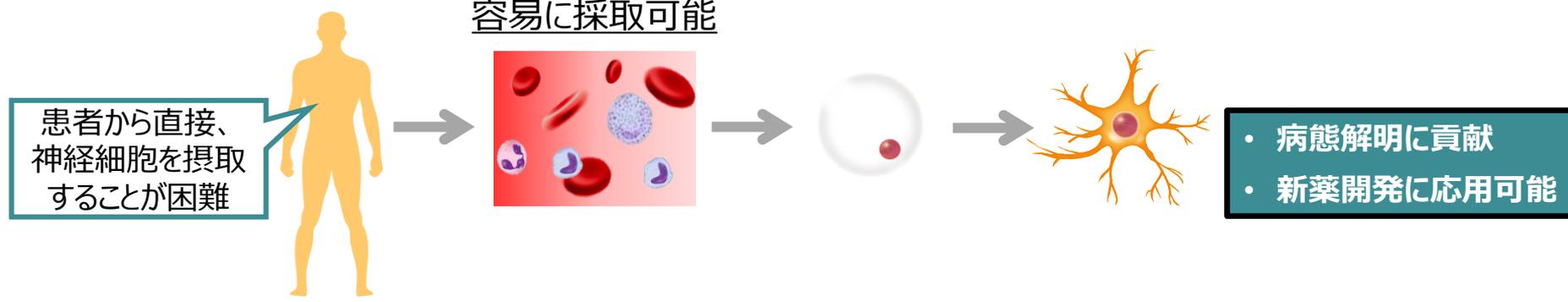
慶應義塾大学
病態再現の技術開発に成功

「アルツハイマー病」患者
「パーキンソン病」患者

血液細胞
皮膚細胞
容易に採取可能

iPS細胞

疾患神経細胞



アルツハイマー病やパーキンソン病など、神経疾患に関する医療ニーズが高まっている中で、既存の薬剤の治療への貢献度は高いとは言えず、新薬の開発に大きな期待が寄せられております

1. 2016年3月期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究試薬

- (2) 創薬支援

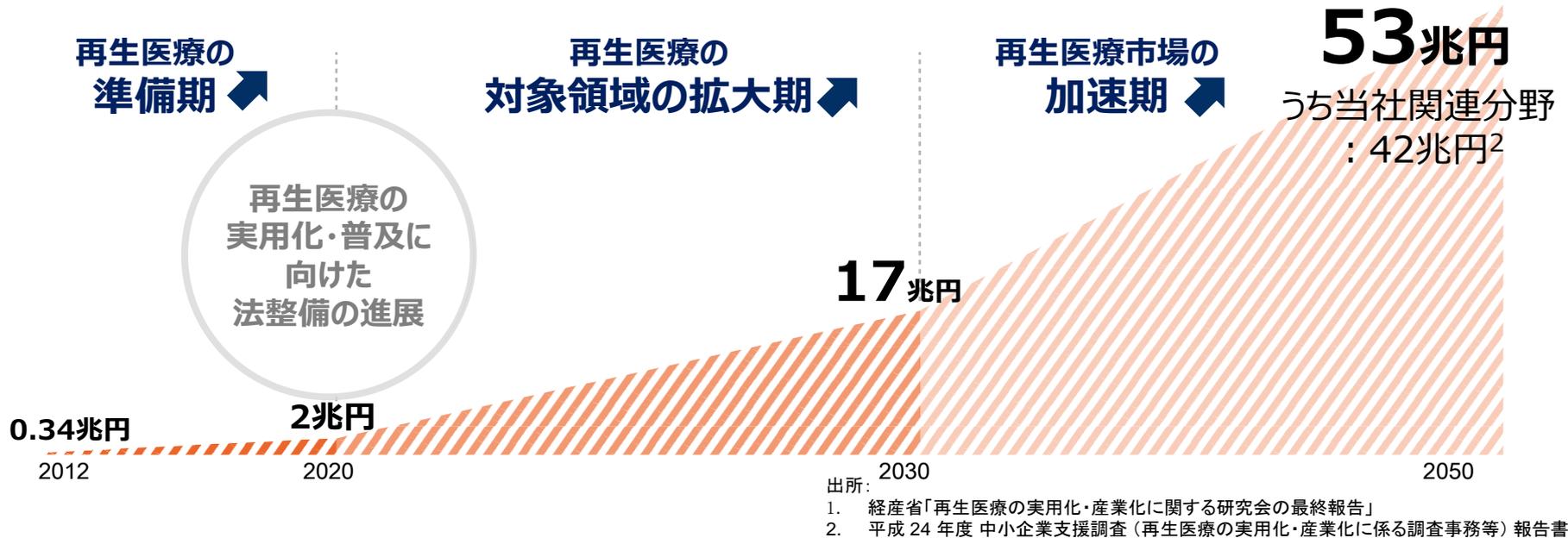
- (3) 再生医療

2. 2016年3月期 決算概要

(3)再生医療_再生医療市場のポテンシャル

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

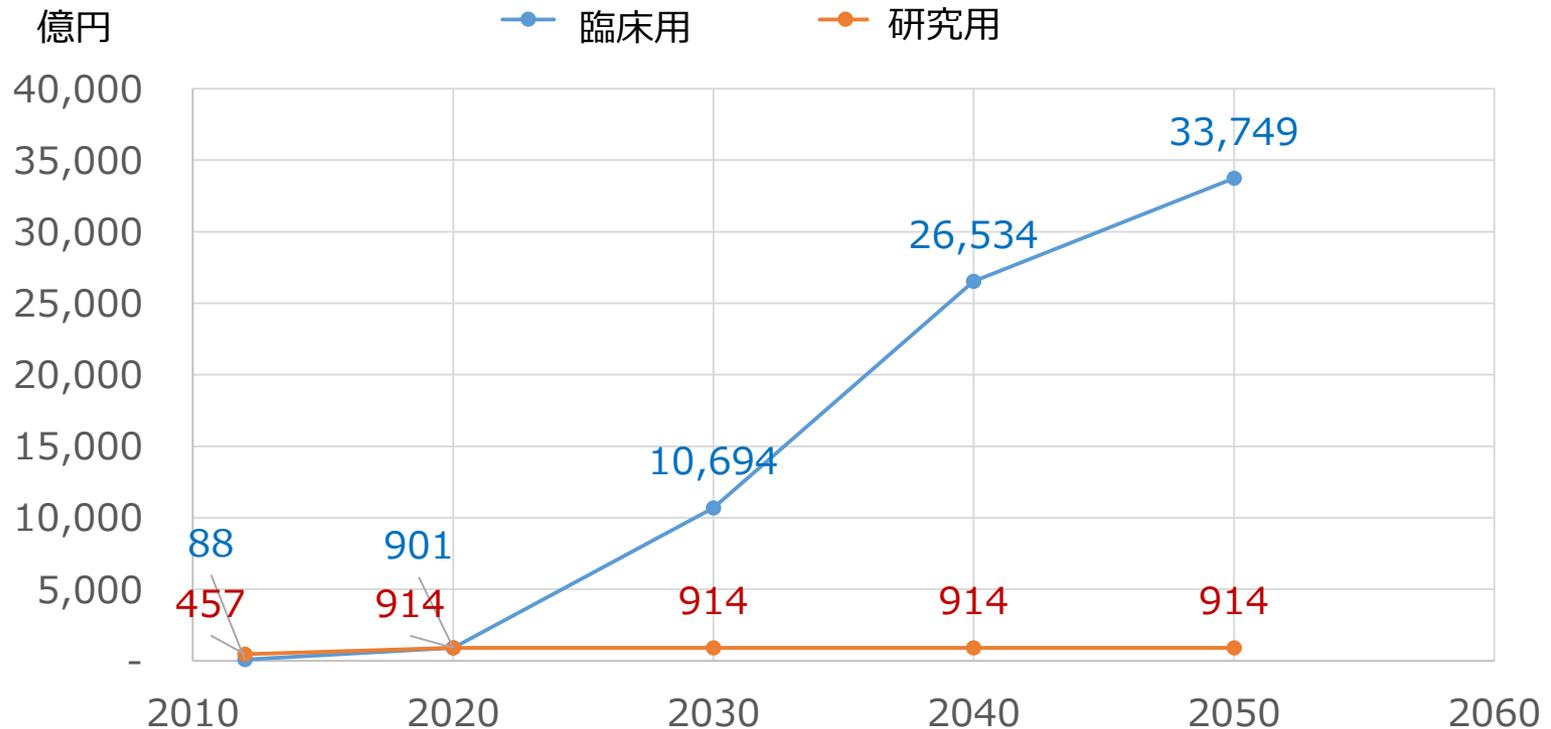
■世界の再生医療市場の成長¹



■リプロセルグループの長期ビジョン



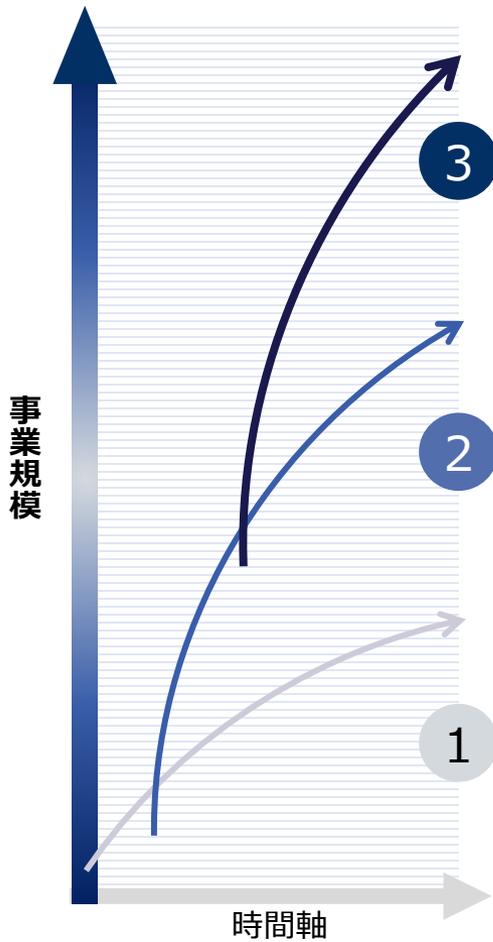
培養液および試薬等のグローバル市場規模



現在は研究用の培養液および試薬等の市場規模が臨床用を上回っていますが、2020年ごろには逆転し、臨床用の市場規模が上回ると予想されています。

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



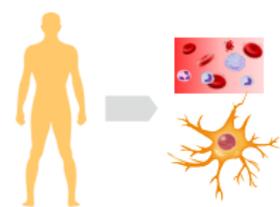
3 **iPS細胞を
活用した
細胞医薬品への展開**

当社グループの最先端の
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

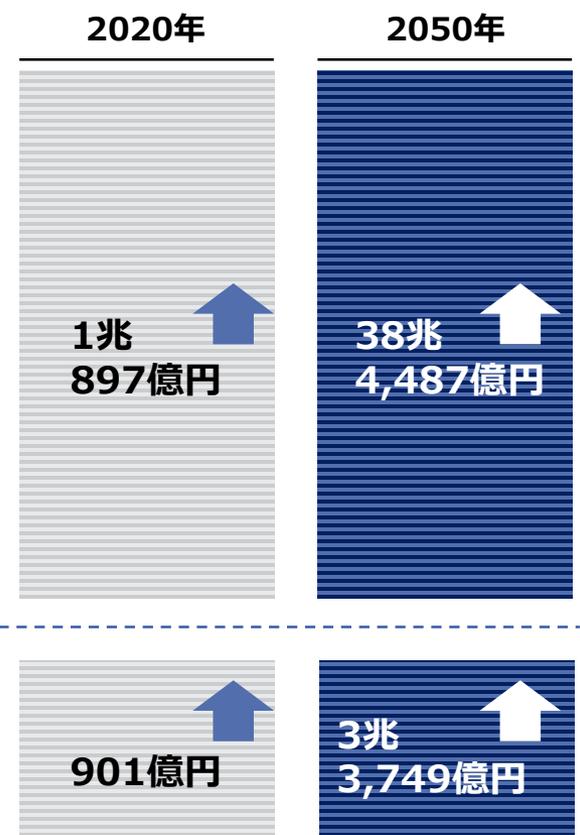


1 **再生医療向け
培地・試薬製品への
展開**

当社グループの最先端の
培養技術の応用



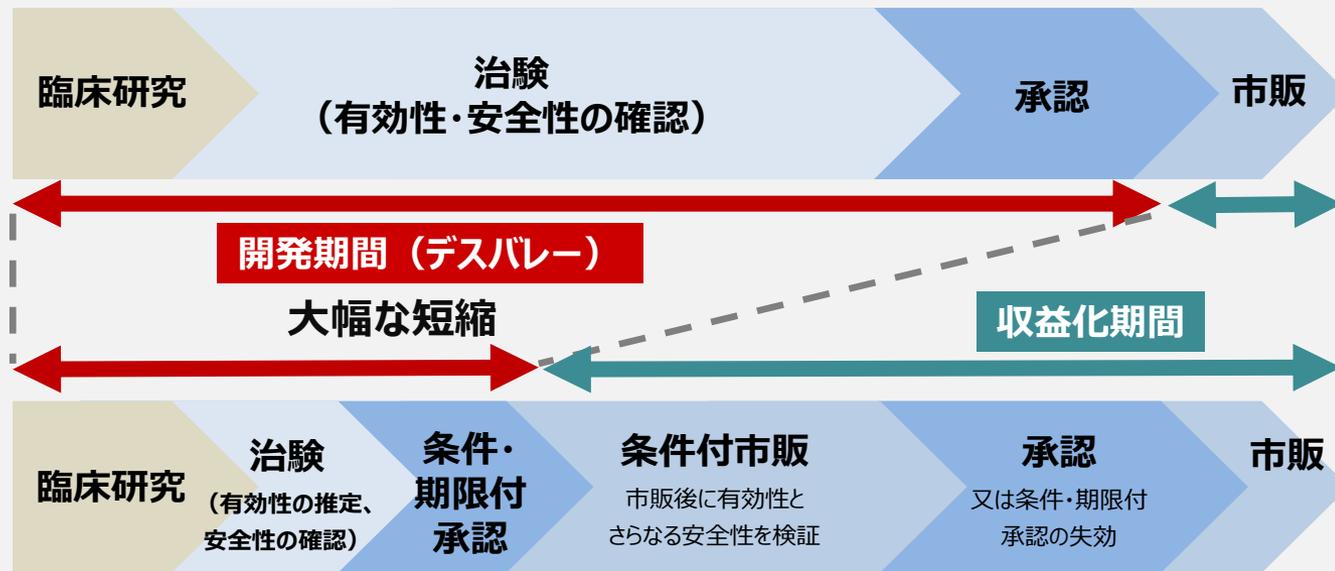
■世界市場規模（予測）



(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)

(3)再生医療_CIPを通じた投資

当社100%子会社のRCパートナーズが新生企業投資と共同で設立したベンチャーファンド

Cell Innovation Partnersが投資第1号案件として、オーストラリアのバイオベンチャーElastagen社へ1百万豪ドルの投資を行いました。

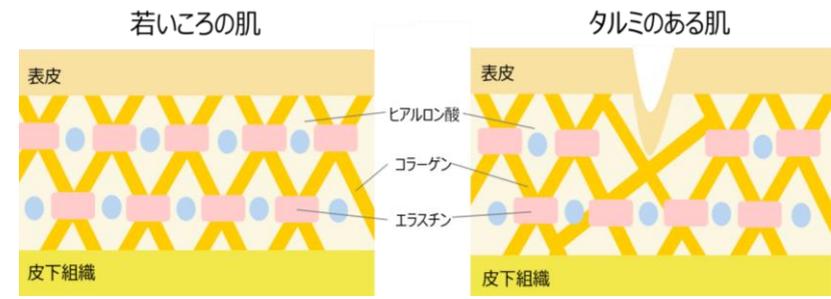
Elastagen社の会社概要

設立年	2003年
事業概要	<ul style="list-style-type: none"> シドニー大学のTony Weiss教授が開発 トロポエラスチンを用い、2本の臨床パイプライン、1本の前臨床パイプラインを開発中 <ul style="list-style-type: none"> 妊娠線を見えにくくするトロポエラスチン注入療法の安全性、有効性を評価する治験を開始予定 肌の張り、弾力性を向上させるトロポエラスチン注入療法も開発中

特徴・魅力	<ul style="list-style-type: none"> 肌を構成する3大要素の1つエラスチンの前駆体であるトロポエラスチンの製造に成功 トロポエラスチンの製造・供給能力を持つのは世界でElastagen社のみである トロポエラスチンは当社が現在開発中のパイプライン以外にも様々な用途で応用が期待される トロポエラスチンを用い、皮膚美容・皮膚創傷を対象とした製品を臨床開発中
-------	---

エラスチンの性質

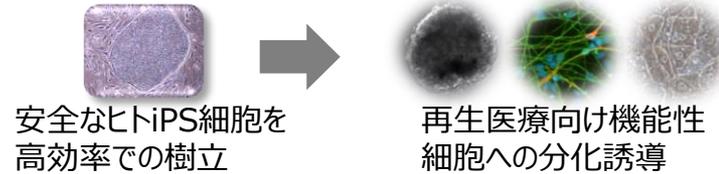
肌（真皮）は、コラーゲン、ヒアルロン酸、エラスチンから構成され、エラスチンは真皮のコラーゲン線維を結び付け、肌にハリ、弾力性を維持する役割を担っている



(3)再生医療_再生医療に繋がる当社の最先端技術

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-アミルブリン酸 (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

(3)再生医療_リプロセルグループの優位性

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

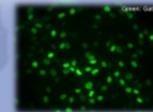
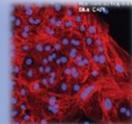
biopta

stemgent

bioserve

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 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 決算概要

(単位：百万円)

	2015年3月期 通期実績	2016年3月期 通期実績	増減	
			金額	比率
売上高	567	1,066	499	88.1%
売上総利益	276	532	256	93.1%
販売費及び一般管理費	1,016	1,557	540	53.2%
うち、研究開発費	280	289	9	3.3%
営業利益又は損失(△)	△740	△1,024	△284	—
経常利益又は損失(△)	△456	△1,169	△712	—
当期純利益又は損失(△)	△451	△1,961	△1,509	—

【売上高】

Biopta社以外の海外子会社の売上が通年で寄与した事により、前期比で88.1%増となった。当期は10製品以上の新製品を上市したが、営業体制構築の遅れにより、想定していた売上高（1,530百万円）へは届かなかった。現在、当初想定していた営業人員確保は完了している。

【営業損失】

Biopta社の買収に関する費用と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】

為替差損191百万円の発生と、Stemgent社の減損損失809百万円の計上により、前年同期比増となった。

(単位：百万円)

	2015年3月末		2016年3月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	5,359	70.6%	5,861	73.6%	501
固定資産	2,234	29.4%	2,106	26.4%	△128
総資産	7,594	100.0%	7,968	100.0%	373
流動負債	299	3.9%	456	5.7%	227
固定負債	209	2.8%	244	3.1%	34
純資産	7,085	93.3%	7,267	91.2%	182
負債及び純資産	7,594	100.0%	7,968	100.0%	373

【第三者割当新株予約権の行使による増資】

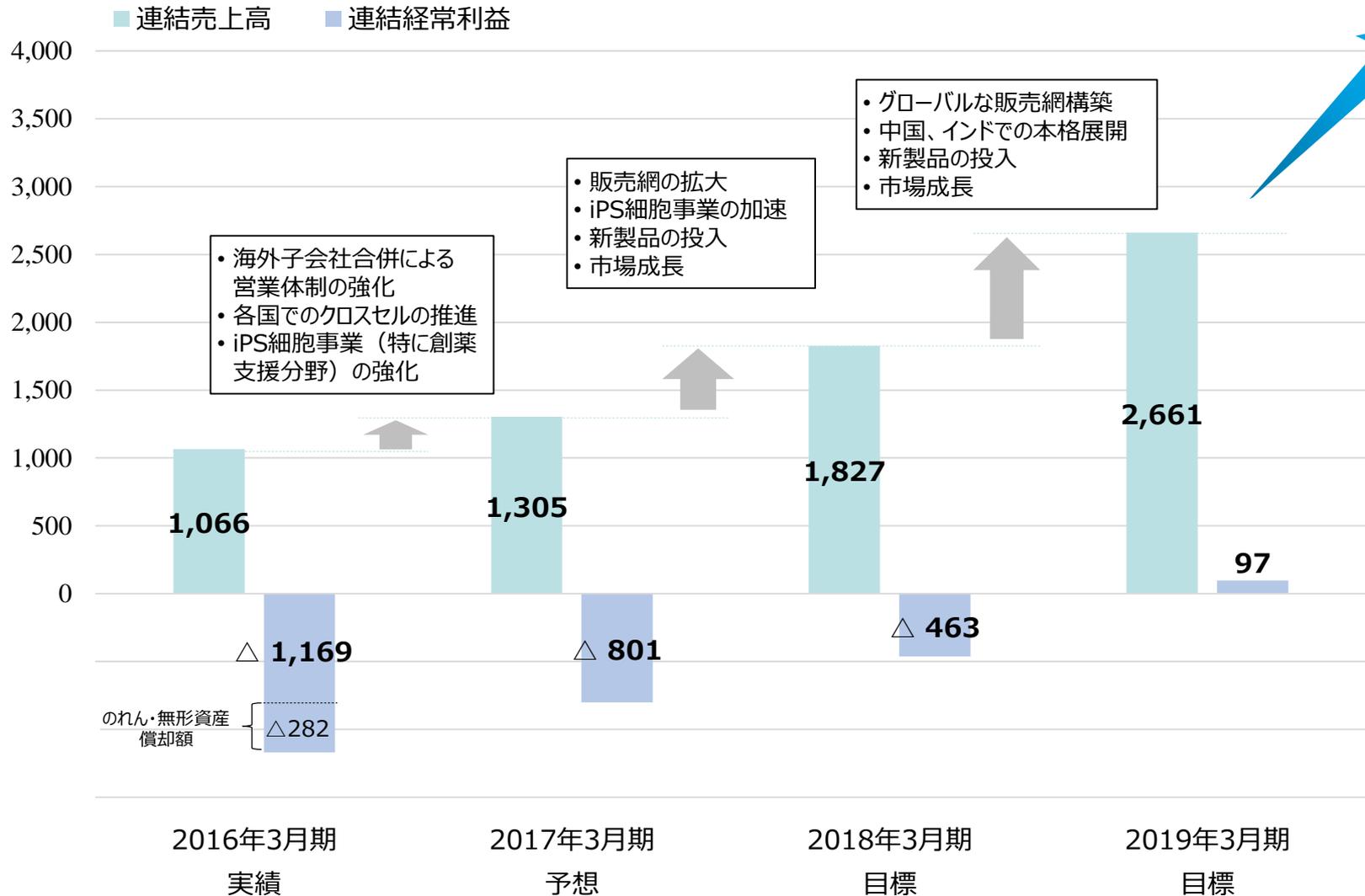
Evolution Biotech Fundを割当先として、総額1,686百万円の資金を調達。

【のれん】

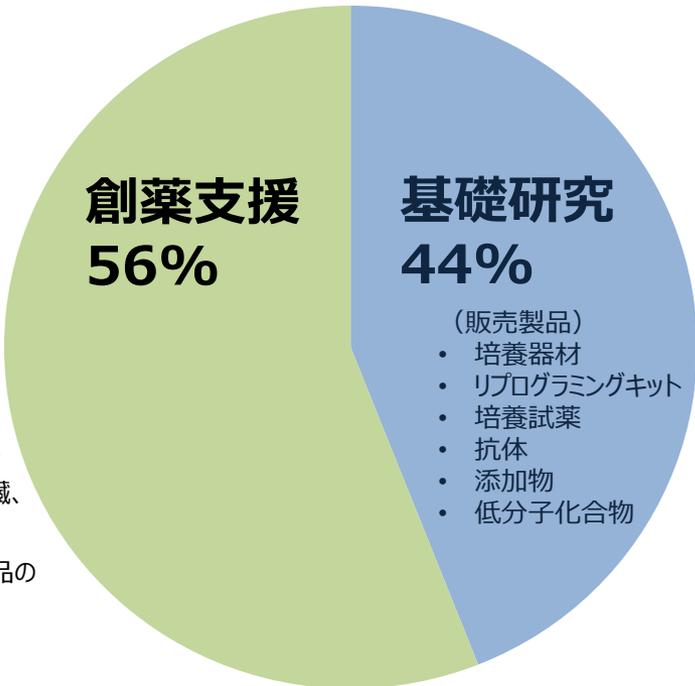
Stemgent社の減損により固定資産が減少。前年度に連結化したReinnervate社、BioServe社、Biopta社ののれん償却額は151百万円（定額法・期間10年）。

固定資産としてののれん残額は、1,345百万円。

(単位：百万円)



製品別売上高



(販売製品)

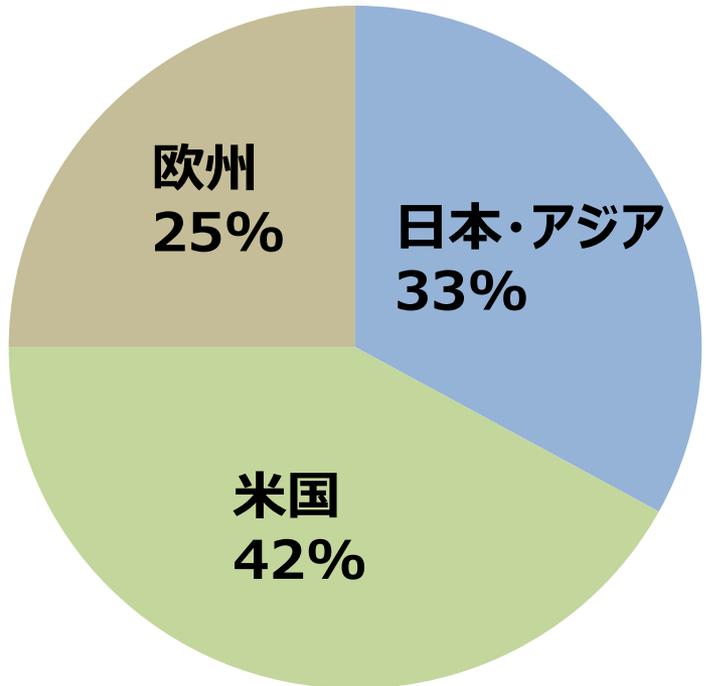
- 生体試料
- 分子検査サービス
- iPS細胞
- iPS細胞作製サービス
- iPS由来の心筋、肝臓、神経細胞製品
- カスタムメイド細胞製品の作製受託

基礎研究
44%

(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

エリア別売上高



欧州
25%

日本・アジア
33%

米国
42%

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>