

東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

平成30年3月期 第2四半期
決算説明会

2017年12月1日



平成30年3月期 第2四半期 総括

- ① **iPS細胞ビジネス：研究支援事業とメディカル事業**

- ② **研究支援事業：事業領域の拡大とグローバル化の推進(インド)**

- ③ **メディカル事業：iPS細胞・再生医療プロジェクトの開始**

1. 平成30年3月期 第2四半期 事業進捗

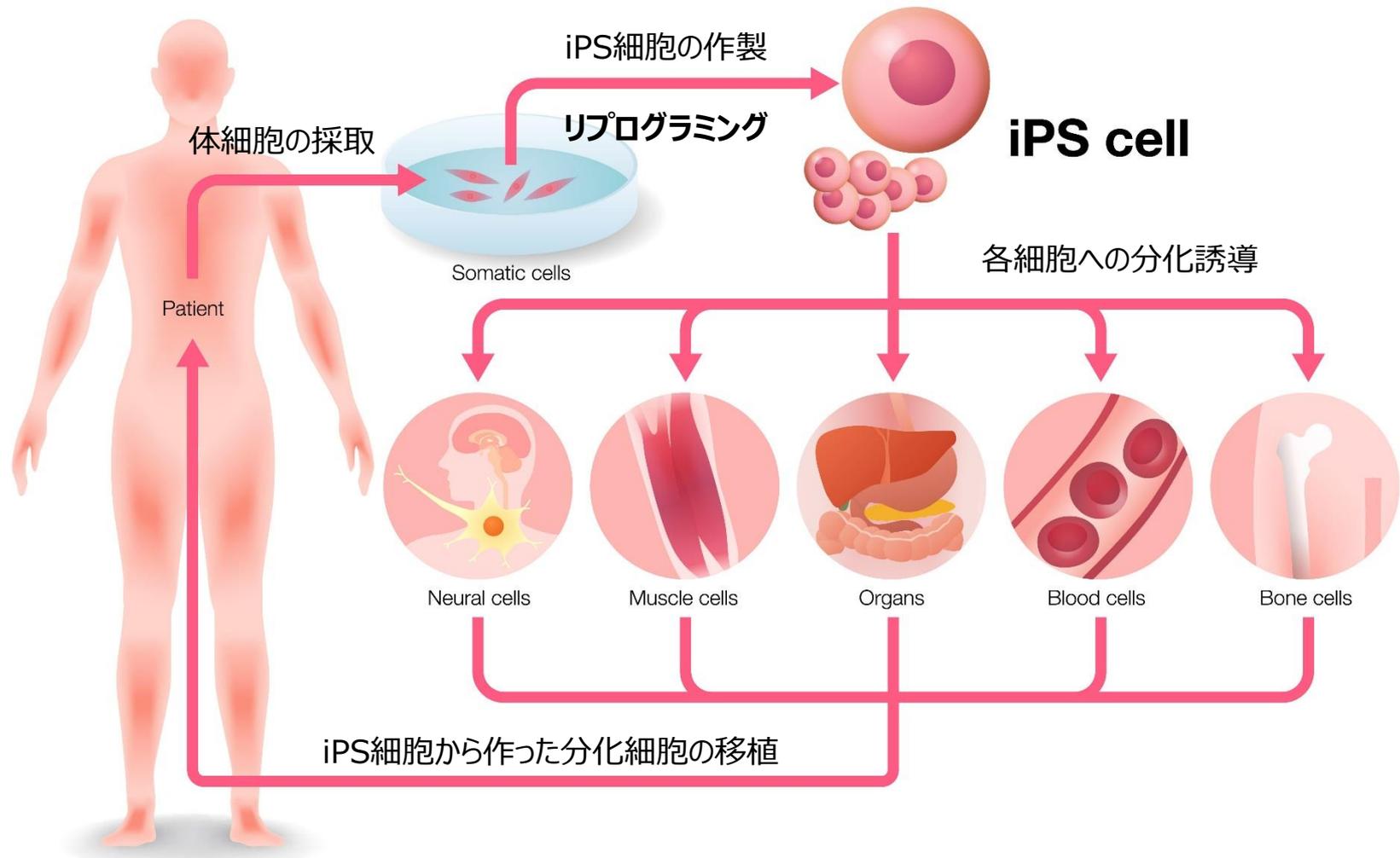
- 全体像

- (1) 研究支援事業
- (2) メディカル事業

2. 平成30年3月期 第2四半期 決算概要

iPS細胞について

iPS細胞を用いた再生医療のイメージ



REPROCELLグループ

REPROCELL USAとREPROCELL Europeの研究拠点を統合し、各地域の顧客の近くで当社サービスをタイムリーに提供できる体制を整えました。



REPROCELL Inc. (本社)

- 横浜市港北区

REPROCELL | USA

- Baltimore, MD

REPROCELL | Europe

- Glasgow, Scotland



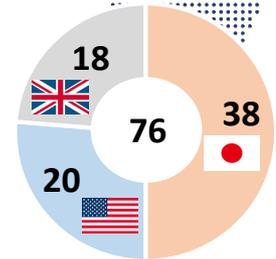
REPROCELL | USA



REPROCELL | Europe



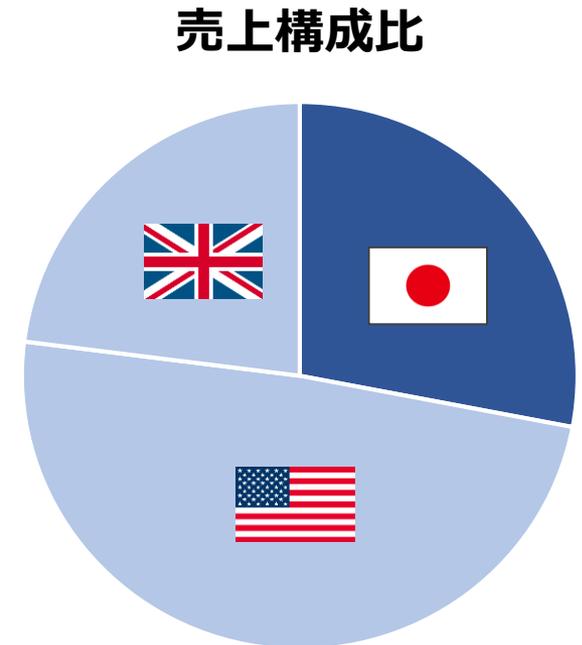
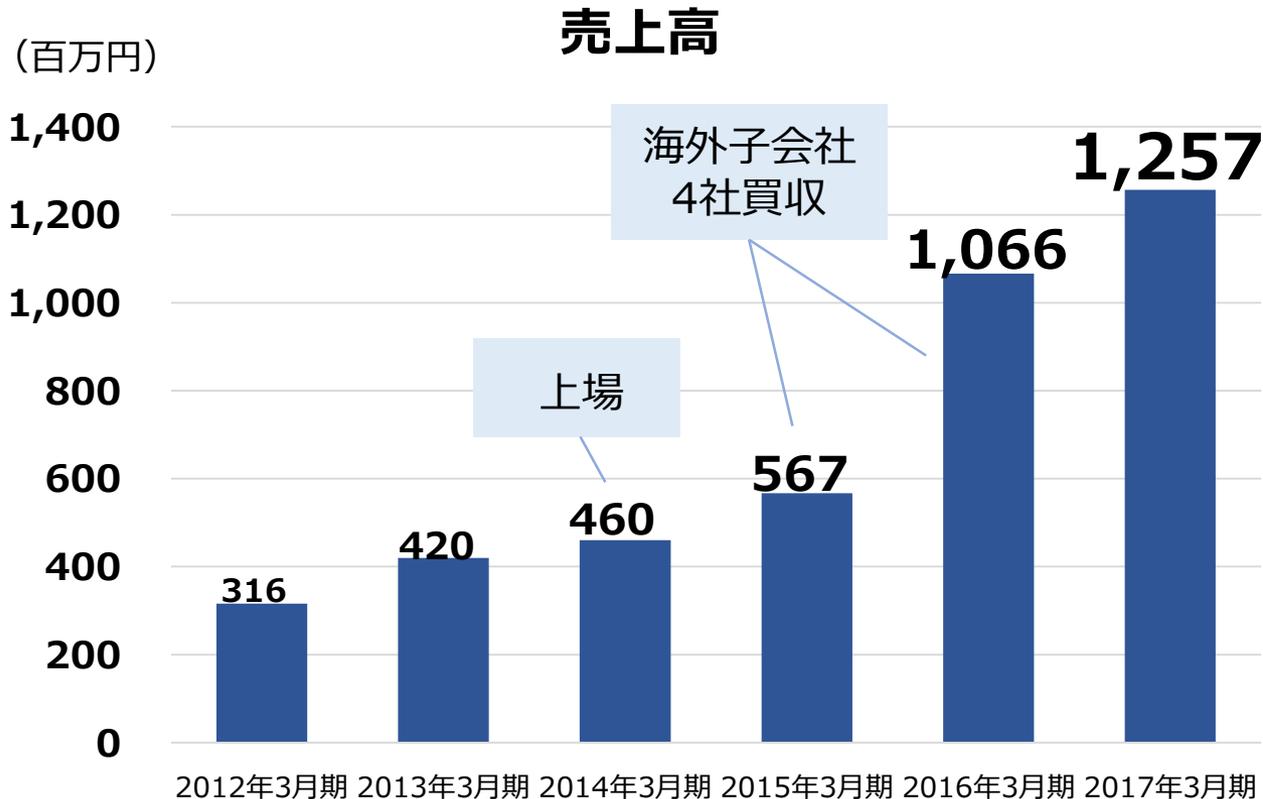
REPROCELL Inc.



各社の人員
(2017年3月末現在、パート・嘱託含む)

グループの売上高推移

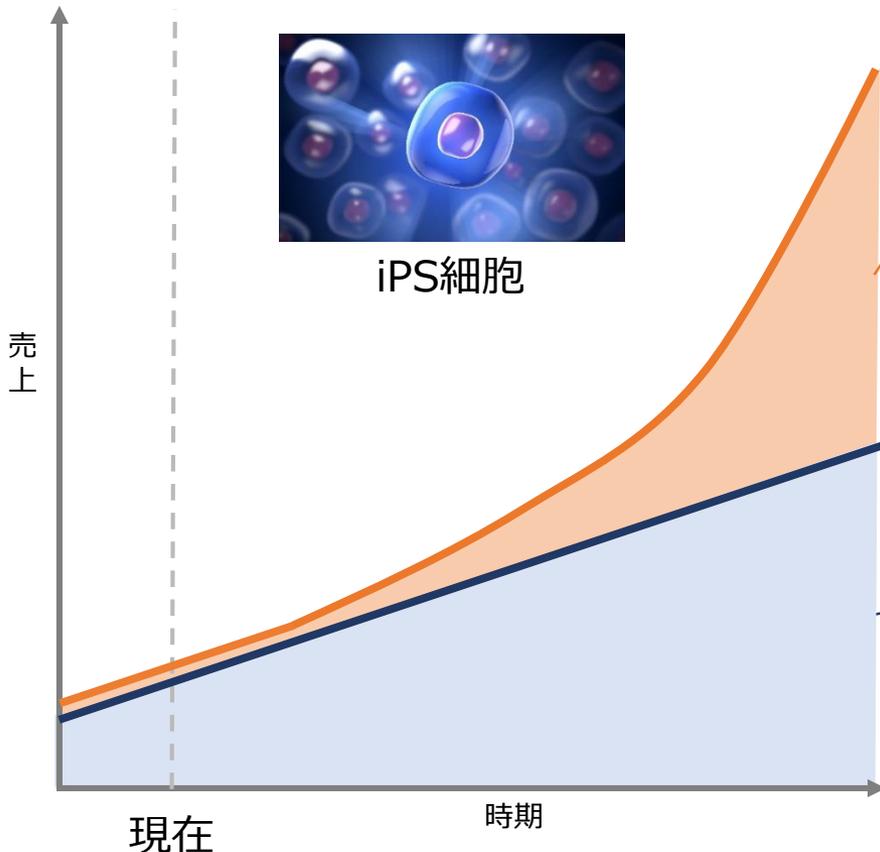
海外子会社の買収や海外代理店との販売提携により、グローバル展開を積極的に進め、売上規模は上場時と比べて約3倍となりました。また、海外売上比率は70%以上となっています。



事業セグメントと成長戦略

当事業年度よりセグメントを変更しました。

短中期的な事業の柱として**研究支援事業**を推進し、中長期的な成長ドライバーとして**メディカル事業**を拡大する事により、当分野のマーケットリーダーになることを目指します。



メディカル事業

再生医療

- ・ iPS細胞バンク
- ・ 細胞医薬品
- ・ 臨床用試薬



臨床検査

- ・ HLAタイピング
- ・ 移植関連検査



iPS細胞技術を中心として、細胞医薬品や臨床用iPS細胞バンキングビジネスを行います

研究支援事業

研究試薬

- ・ iPS細胞培養液
- ・ 研究試薬
- ・ プレート



創薬支援

- ・ ヒトiPS細胞
- ・ ヒト細胞
- ・ 受託サービス



動物実験からヒト細胞実験へのシフトに伴って拡大するヒト細胞市場にて事業を拡大していきます。

1. 平成30年3月期 第2四半期 事業進捗

- 全体像

- (1) 研究支援事業

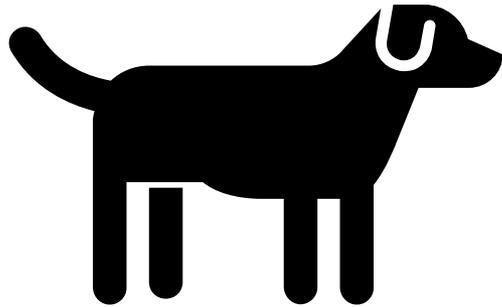
- (2) メディカル事業

2. 平成30年3月期 第2四半期 決算概要

動物実験からヒト細胞を使った実験へ

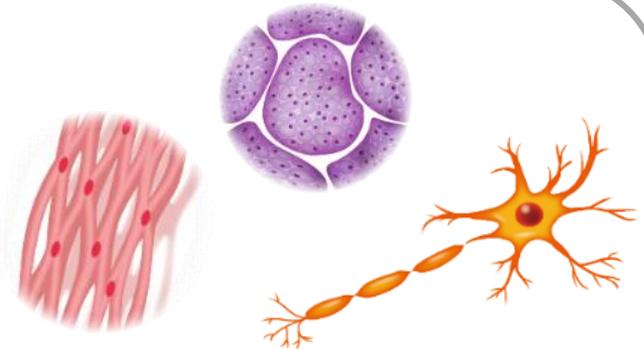
高コストな動物実験から、ヒト細胞を活用したより高精度な実験へと置き換えが進んでいます。当社グループではヒトiPS細胞およびヒト細胞のラインナップを拡充しています。

動物実験



- 動物愛護上の倫理的な問題
- 種間差によるデータ精度の問題
- 高コスト、ロースループット

ヒト細胞を使った実験



- 動物愛護上の倫理的な問題がない
- 種間差によるデータの誤差が少ない
- 低コスト、ハイスループット



豊富なヒト細胞ラインナップ

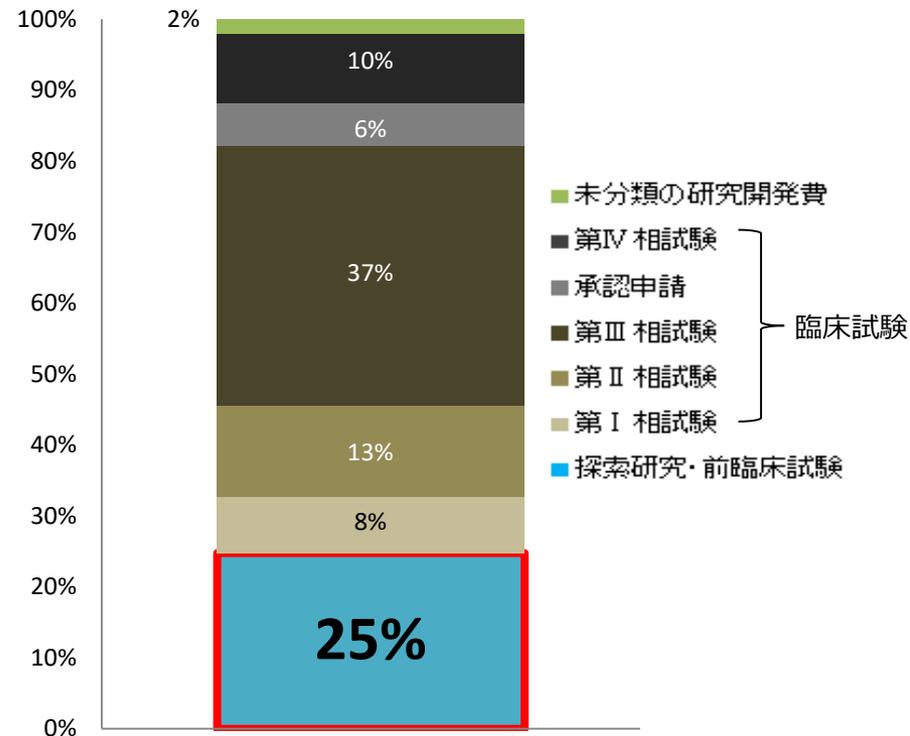
研究支援事業の市場規模

大手製薬企業の研究開発費支出

| 国内上位10社 | 2013年度 (億円) | 海外上位10社 | 2013年度 (億円) |
|--------------|----------------|--------------|----------------|
| 武田薬品工業 | 3,433 | ノボルディスク | 15,268 |
| アステラス製薬 | 2,146 | ロシュ | 9,728 |
| 第一三共 | 1,897 | ノバルティス | 9,615 |
| 大塚ホールディングス | 2,490 | ジョンソン&ジョンソン | 7,986 |
| イーザイ | 1,305 | メルクUS | 7,322 |
| 田辺三菱製薬 | 704 | サノフィ・アベンティス | 6,207 |
| 大日本住友製薬 | 698 | グラクソ・スミスクライン | 5,982 |
| 協和発酵キリン | 436 | ファイザー | 5,617 |
| 塩野義製薬 | 519 | イーライリリー | 5,398 |
| 大正製薬ホールディングス | 218 | アストラゼネカ | 4,705 |
| 上位10社合計 | 13,846 | 上位10社合計 | 77,828 |

注：海外企業研究開発費の円換算レートは、97.60円/USDを使用
 出所：日本製薬工業協会「DATA BOOK 2015」

製薬メーカーの創薬プロセス別R&D費内訳

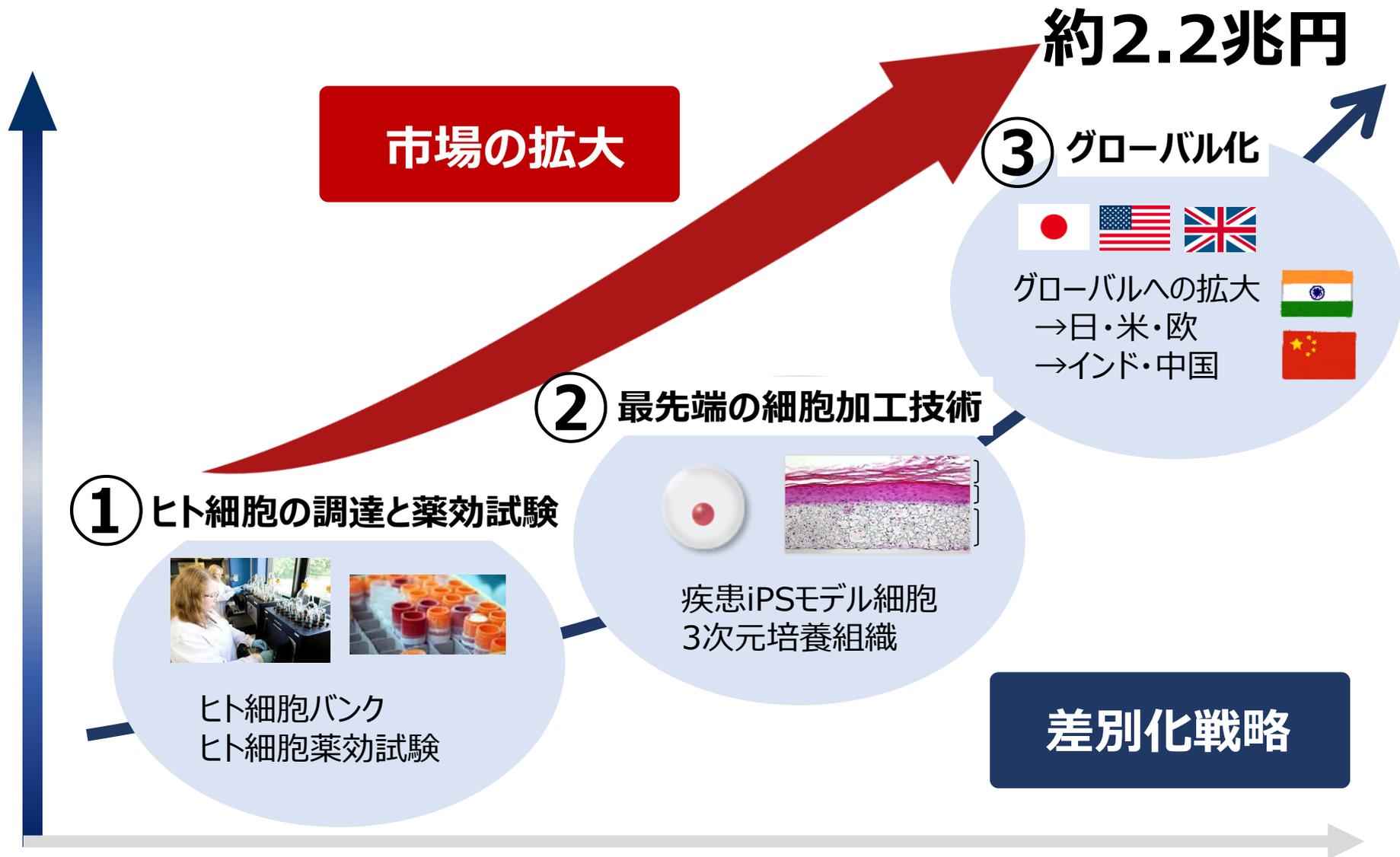


出所：PhRMA : Industry Profileを基にリプロセル作成

製薬企業のR&D費用総額は
 国内で年間1.3兆円以上
 海外で年間7.7兆円以上

探索研究・前臨床試験の潜在市場規模
 国内：3,300億円
 海外：1兆9,300億円

研究支援事業における成長戦略



ヒト細胞の調達と新薬評価試験

ヒト細胞バンキング



インフォームドコンセントを得て採取された60万個以上のヒト生体試料を、前臨床試験、創薬など研究目的・用途に応じて、疾患別、臓器別に提供

新薬評価試験サービス

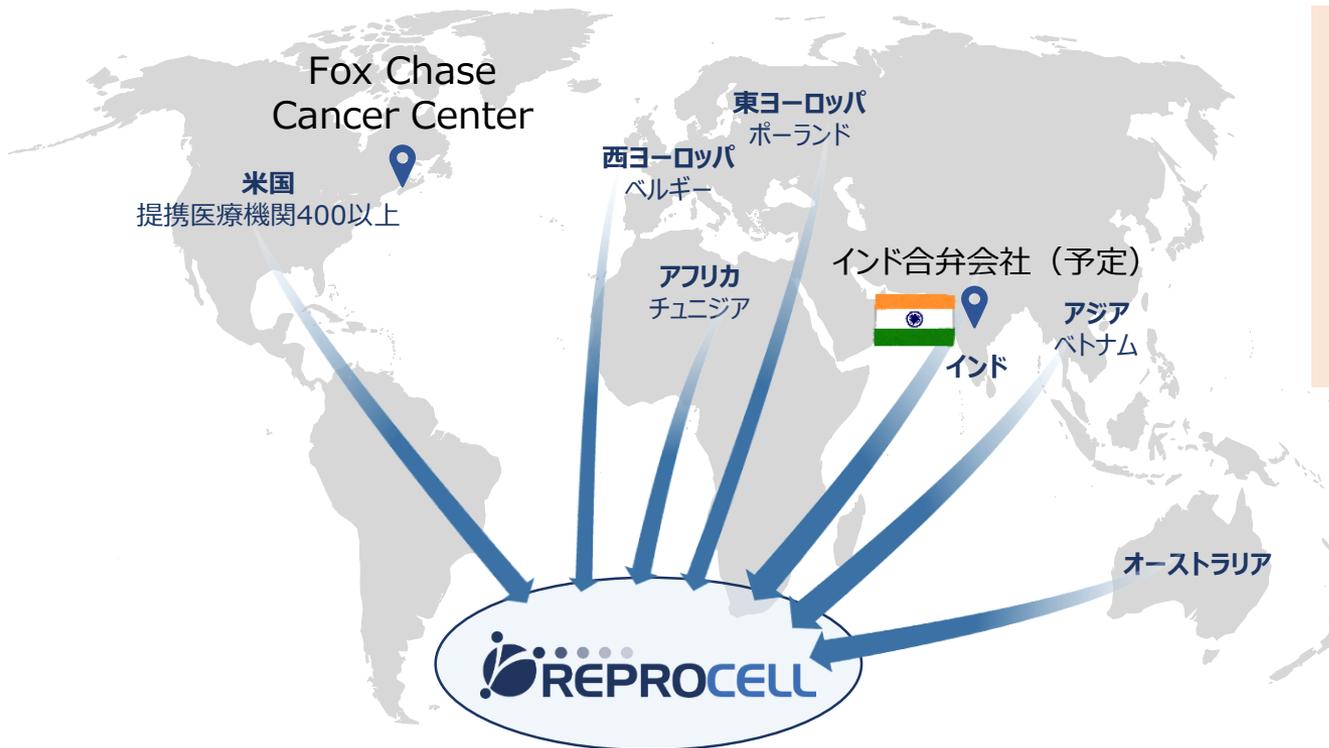


鮮度の高いヒト組織・臓器をイギリス・アメリカ全土から調達し、それを活用した創薬支援サービス（ヒト細胞薬効試験）を製薬メーカーに提供

グローバルなヒト細胞の調達網

・ヒト生体試料

- 世界中の医療施設からヒト細胞を調達
- 米国のFox Chase Cancer Center (FCCC) との提携を開始
- インドにおいてFCCCとの合弁会社を設立予定



<FCCCについて>

1905年にアメリカで最初のがん病院の1つとして設立され、1974年に国立がん研究所総合がんセンターに指定された最初の機関の1つ。

がん分野において、2名のノーベル賞受賞者を輩出した。

現在は、基礎研究や橋渡し研究、臨床研究を幅広く行っている。

iPS細胞の創薬応用

iPS細胞技術の上流から下流までを全てカバーしていることが当社グループの大きな強みです。
製薬企業でニーズの高い患者由来の疾患モデル細胞など幅広く提供できます。



尿の採取



パーキンソン病



アルツハイマー病



ハンチントン病



RNAリプログラミング

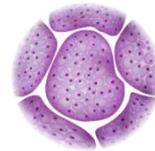


ヒトiPS細胞

分化誘導



心筋細胞



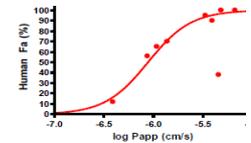
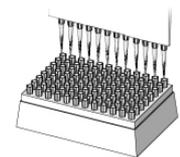
肝細胞



神経細胞

新薬の評価試験

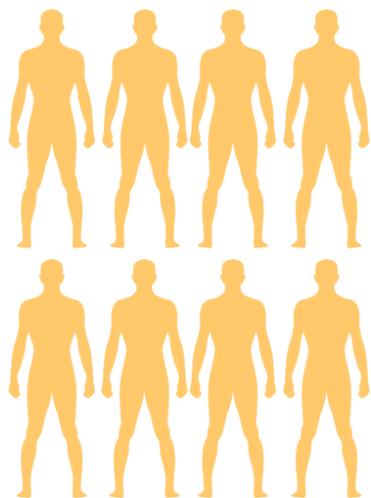
創薬スクリーニング



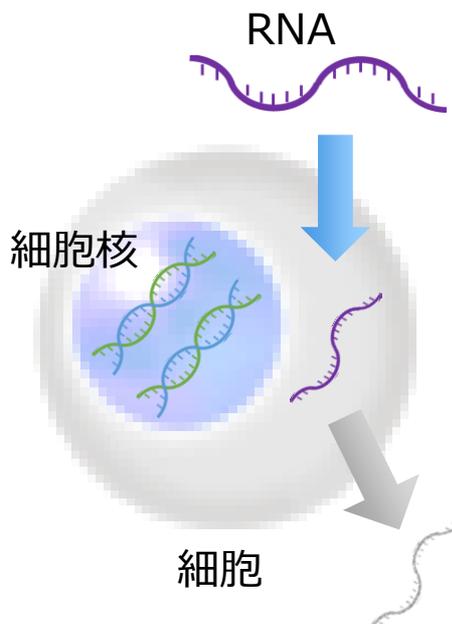
尿からのiPS細胞（第3世代RNAリプログラミング）

第3世代RNAリプログラミング技術では樹立効率が高いため尿に含まれる細胞からiPS細胞の作製が可能になりました。尿は患者への侵襲性がなく、誰からも容易に採取することができるため、多くの種類の疾患iPS細胞を作製することができます。

尿の採取



RNAによるリプログラミングのイメージ



1. RNAが細胞の初期化に必要な遺伝子情報を運ぶ

2. RNAに基づいて生産されたたんぱく質がDNAの転写を制御することによって初期化を起こす

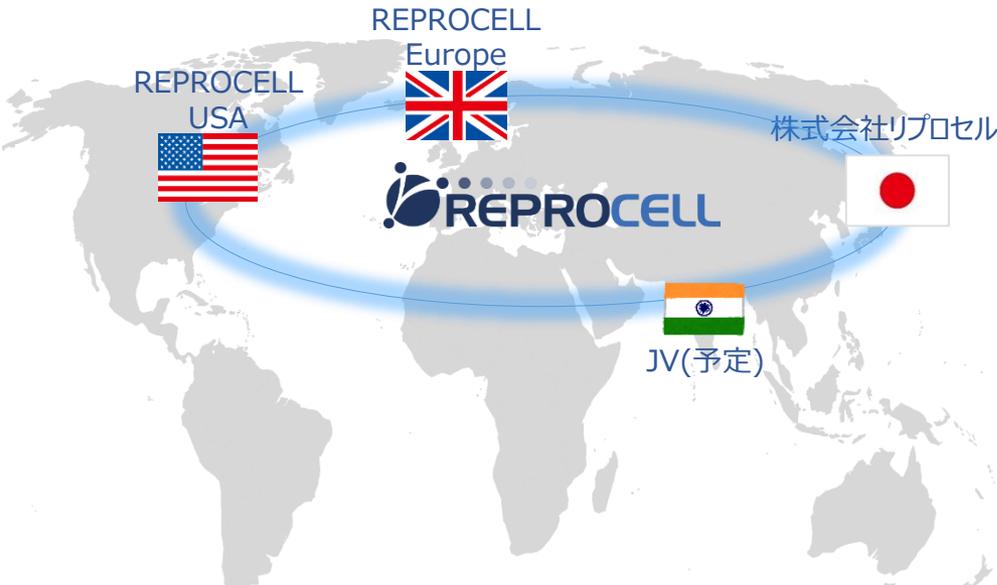
3. RNAは速やかに分解・排出される

皮膚や血液に比べ侵襲性が全くない
世界中の多種多様な患者から採取可能

安全： ウイルス残存のリスクがなく、ゲノム損傷の恐れもない
高品質： クローン間差が少ない、分化能が高い
高効率： 従来法より短時間でiPS細胞樹立が可能

グローバル展開

日米欧の3拠点全てにラボ施設を保有しており、iPS細胞技術、新薬評価試験などグループ全体の技術を共有して、それぞれの地域で幅広いビジネスを展開しております。



リプロセルEUでの新規ラボのオープニングセレモニー
 スコットランド自治政府首相
 Nichola Sturgeon氏が来訪



REPROCELL | USA

REPROCELL | Europe

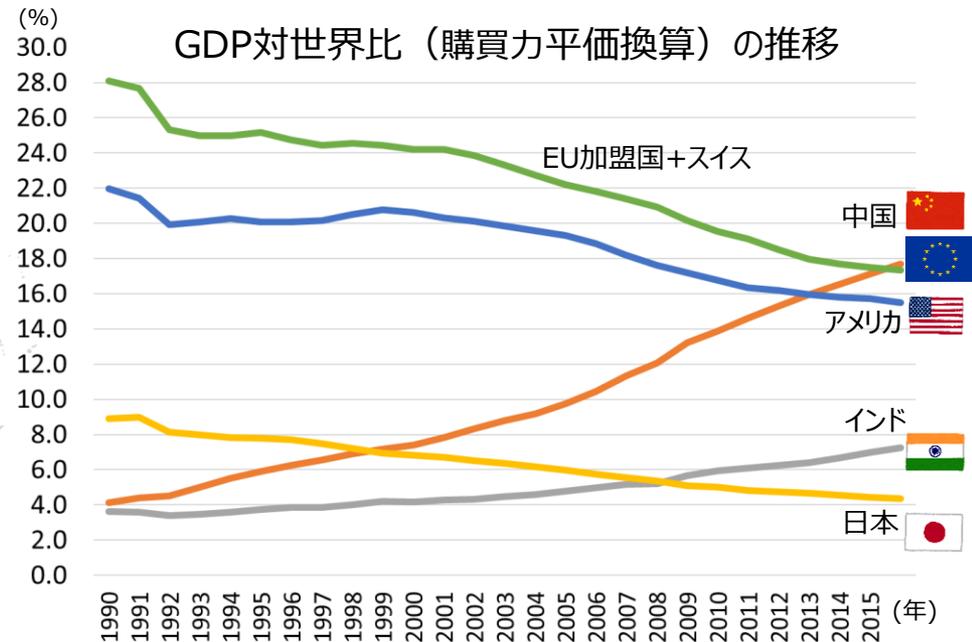
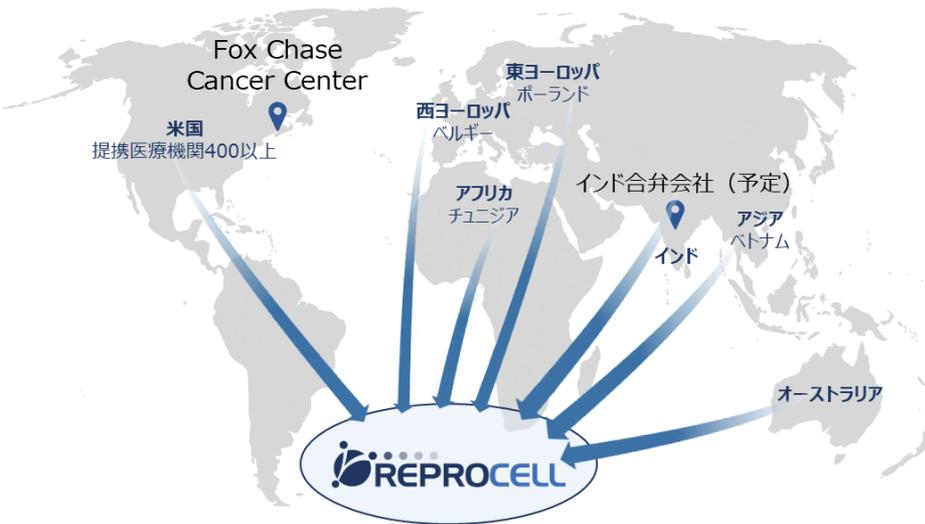
REPROCELL Inc.

インド進出について

現在インドの人口は約12億人であり、中国に次いで世界第2位の人口数ですが、今後人口はさらに増加し、2022年には中国を抜いて世界第1位になると予想されています。※1

また、近年インドは経済成長が著しく、アジアでも有数の経済大国となっています。インドのGDP（購買力平価）の世界に占める割合は既に日本を抜いて第3位となっており※2、インド国内では富裕層・中間層も増加していることから、将来的にさらに巨大な市場になると予想されています。

当社グループは現在、大きな市場である日本、米国、欧州に拠点を構え、事業を推進しております。今後さらにインドや中国といった新興国へ進出し、成長市場も取り込むことにより、さらに企業価値を高めてまいります。



※1 出所：経済産業省 平成 28年版通商白書

※2 出所：IMF WEO, April 2017

資料：IMF WEO, April 2017 から作成

新規事業：化粧品の発売

キレートジャパン社と当社の合併会社である株式会社リプロキレートが第1号製品「セルアージュ バイオマスク」の販売を11月より開始しました。



1. 平成30年3月期 第2四半期 事業進捗

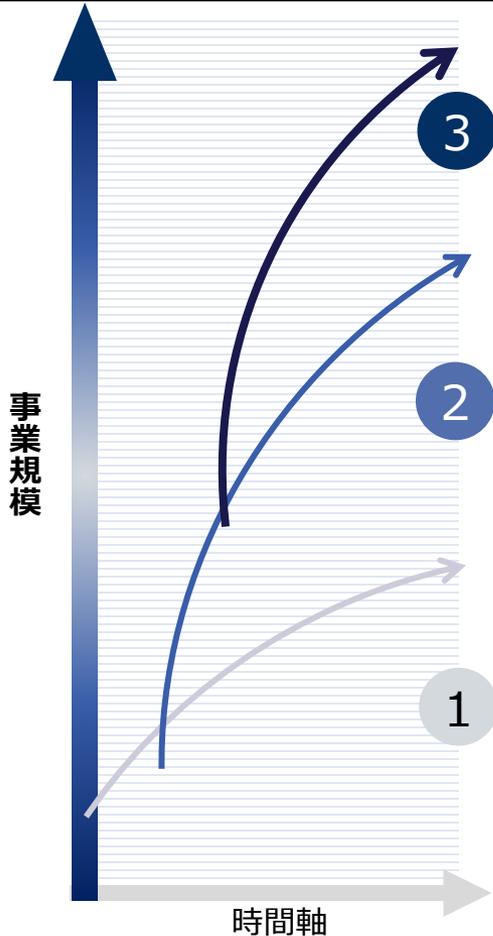
- 全体像
- (1) 研究支援事業
- (2) メディカル事業

2. 平成30年3月期 第2四半期 決算概要

再生医療進出ロードマップ

再生医療産業向けに広く消耗品、技術、インフラを提供するリーディングカンパニーを目指します。

再生医療進出のロードマップ



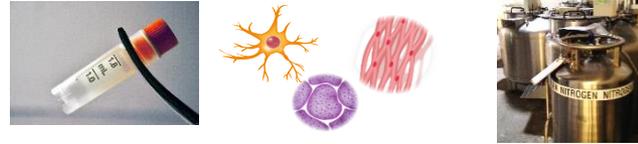
3
iPS細胞を
活用した
細胞医薬品や
iPS細胞バンクへの展開

2
体性幹細胞を
活用した
細胞医薬品への展開

1
再生医療向け
培地・試薬製品への
展開

戦略的位置づけ

次世代RNAリプログラミング技術によるアライアンスを進め、再生医療の基盤技術を提供するリーディングカンパニーへ



ステミメント社との協業を通じて細胞医薬品の開発ノウハウを蓄積し、再生医療企業としての地位を獲得



臨床に適した製品群で当社技術のユーザー基盤を拡大



2050年世界
市場規模予測

約38兆円

約3兆円

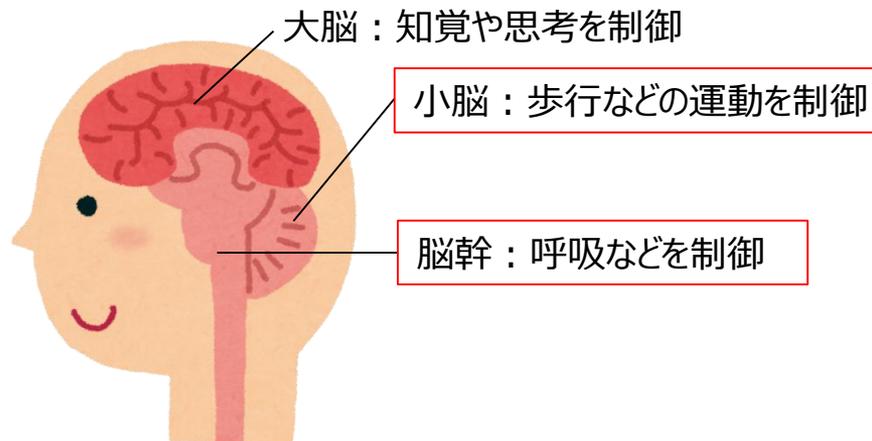
体性幹細胞を活用した細胞医薬品 「StemChymal®」の開発について

脊髄小脳変性症を対象疾患とした細胞医薬品「Stemchymal®」の治験開始に向けて、治験責任医師及び規制当局（PMDA）と話し合いを進めています。

脊髄小脳変性症について

脊髄小脳変性症は小脳や脳幹、脊髄の神経細胞が変性してしまう事により徐々に歩行障害や嚥下障害などの運動失調が現れ、日常生活が不自由となってしまう原因不明の疾患です。国内患者数は約3万人（約4,000人に1人）の希少疾患であり、20歳前後から60歳前後まで幅広い年齢で発病することが知られています。

ステミネント社の細胞医薬品Stemchymal®は本疾患を対象として台湾及びアメリカで開発が進められており、アメリカではFDA（※1）よりオーファンドラッグ（※2）指定も受けています。



神経細胞の変性により徐々に機能を失ってしまう

- ・歩行障害（ふらつく、まっすぐ歩けない）
- ・嚥下障害（うまく食べ物が飲み込めない）
- ・言語障害（ろれつが回らない）
- ・呼吸障害
- ・手が震える、字がうまく書けない

など

※1 アメリカ食品医薬品局（Food and Drug Administration; FDA）

医薬品などについて、その許可や違反品の取締りなどの行政を専門的に行う政府機関。

※2 希少疾病医薬品。指定を受けると、助成金の交付や審査を優先的に受けられる等の特例措置が受けられる。

StemChymal®今後の開発スケジュール

| 項目 | 年度 | 2017 | 2018 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 |
|--------------------------------|----|------|------|------|------|------|------|------|
| ① 治験準備 | | /// | | | | | | |
| ② 治験（第Ⅰ/Ⅱa相） | | | | | | | | |
| ③ 条件・期限付承認の取得 （条件付きでの販売を開始） | | | | | | | | |
| ④ 治験（第Ⅱb/Ⅲ相） | | | | | | | | |
| ⑤ 本承認・上市 | | | | | | | | |

2021年度以降に
収益化の予定

① 治験準備

契約締結後、日本の法規制に適合した製品の研究開発を行い、日本での治験実施許可を取得します。

② 治験（第Ⅰ/Ⅱa相）

許可の取得後、日本での治験を開始します。

③ 条件・期限付承認の取得（条件付きでの販売を開始）

2020年頃を目途に条件・期限付き承認の取得を目指します。

条件付き承認を得ることにより、治験を進めながら条件付きでの販売を行うことができます。

④ 治験（第Ⅱb/Ⅲ相）～⑤ 本承認・上市

2023年頃に本承認を取得し本格的な普及を目指します。

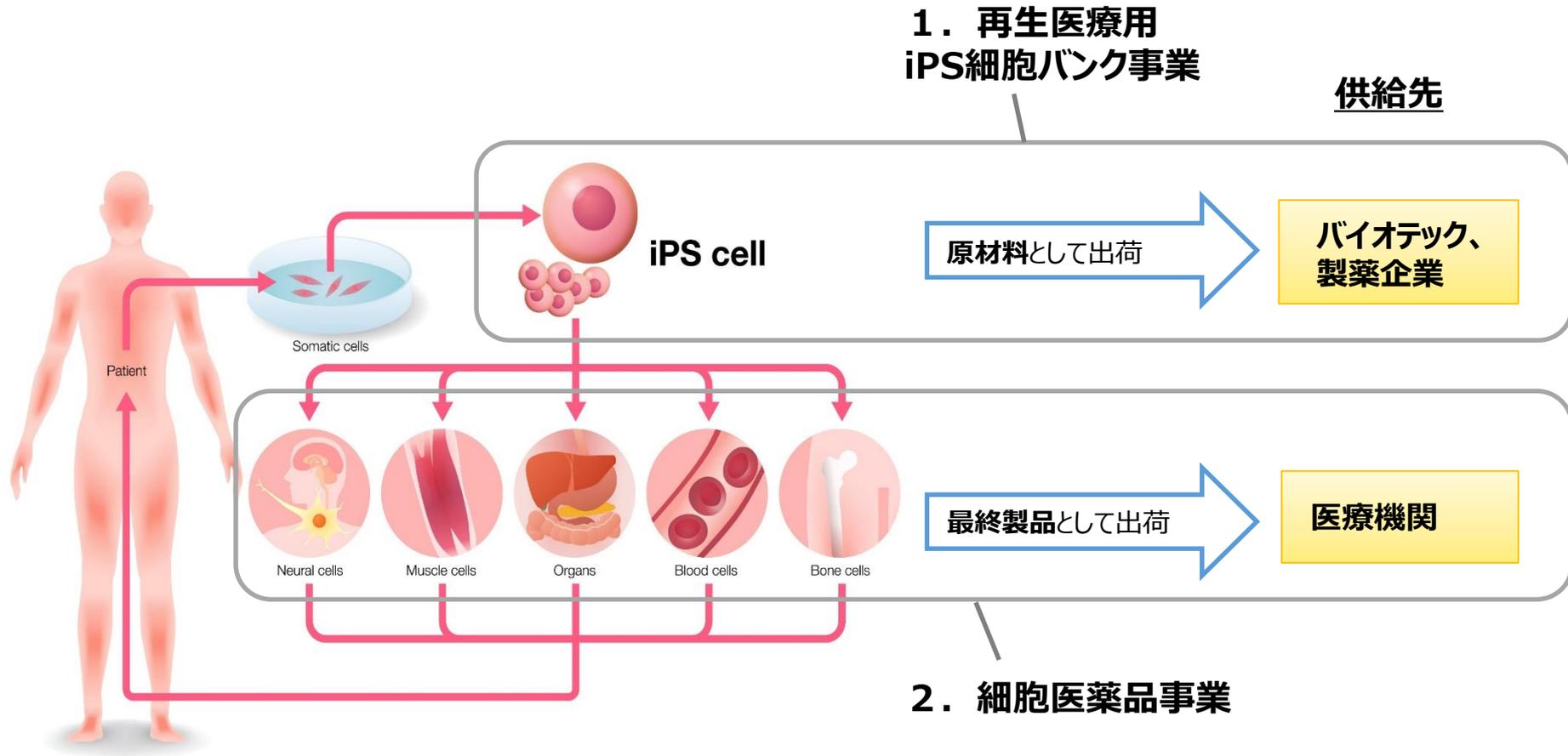


既存薬の国内年間
売上は約180億円
と推定される。

※本タイムラインは準備や治験等が順調に進んだ場合を想定しており、状況によっては予定が変更となる場合があります。

iPS細胞を用いた再生医療の事業モデル

iPS細胞を用いた再生医療のイメージ



再生医療用iPS細胞に求められる安全性と 当社技術の特徴

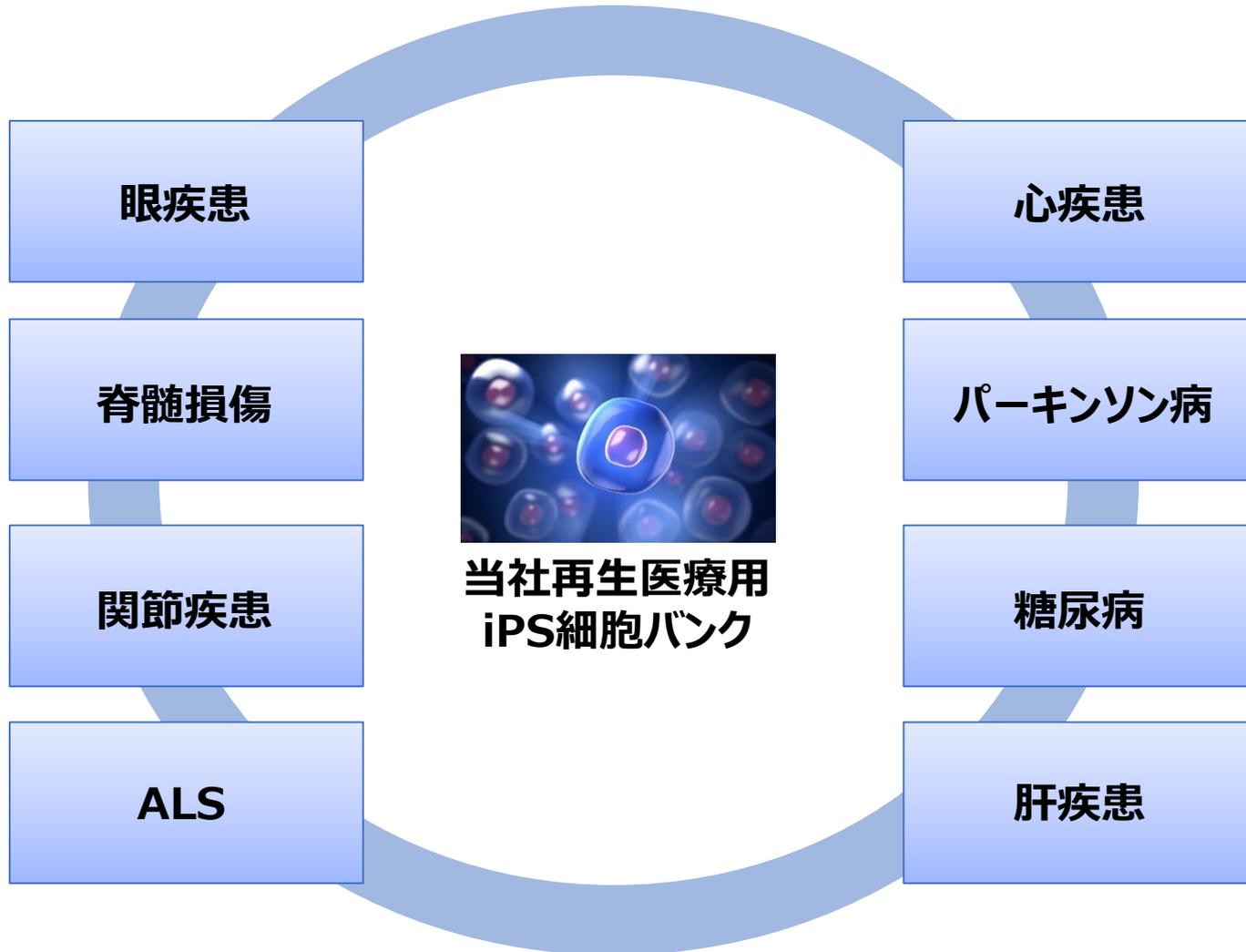
原材料としてのiPS細胞に求められる 安全性の審査ポイント

当社RNAリプログラミング法 の特徴

- がん化関連遺伝子異常の排除 ↔ 遺伝子変異が起きにくい
- リプログラミング因子の残存の排除 ↔ RNAは速やかに消失
- ウイルスの残存の排除 ↔ ウイルスを使用しない

従来技術よりも安全なiPS細胞が作製可能

iPS細胞技術により克服が期待される疾患の例



iPS細胞医薬品事業の実現ロードマップ



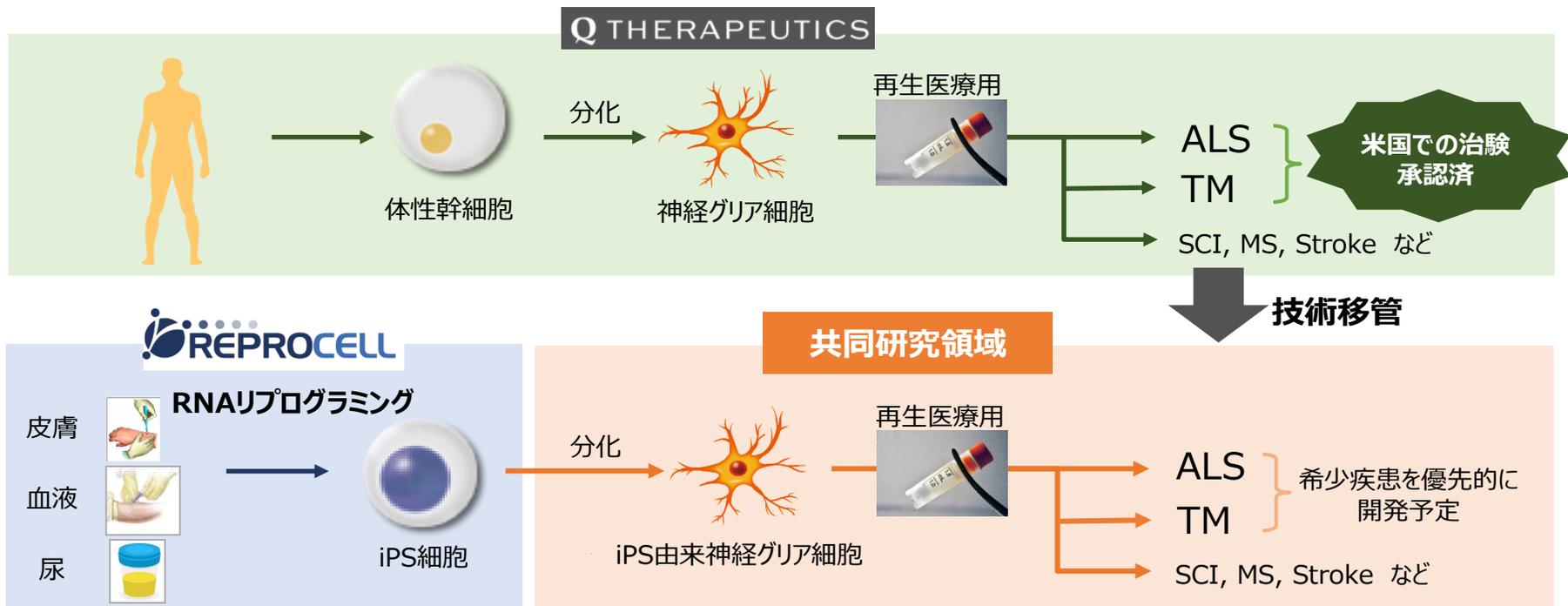
米国Q Therapeutics Inc.および共同創設者Mahendra Rao博士とのiPS細胞医薬品共同研究の概要（2017年11月29日リリース）

当社は米国Q Therapeutics Inc.（キューセラピューティクス、以下、Qセラ社）および共同創設者Mahendra Rao博士とiPS細胞医薬品の共同研究について基本合意しました。

Qセラ社は、体性幹細胞から神経グリア細胞（GRP）を製造する独自の技術を保有しています。体性幹細胞から製造された細胞製品Q-Cell®は、米国FDAより筋萎縮性側索硬化症（ALS）および横断性脊髄炎（TM）を対象疾患とした治験の承認を取得しており、さらに脊髄損傷（SCI）、多発性硬化症（MS）、脳卒中（Stroke）への適応拡大を目指した非臨床試験も実施中です。

一方で、当社は、独自のiPS細胞作製技術であるRNAリプログラミング技術を保有しています。本技術では遺伝子変異リスクを最小化し、外来遺伝子やウイルス残存リスクのない、高品質で臨床応用に適したiPS細胞を作製することが可能です。

両社の技術を組み合わせることで、iPS細胞由来GRPを再生医療用途で迅速に開発してまいります。



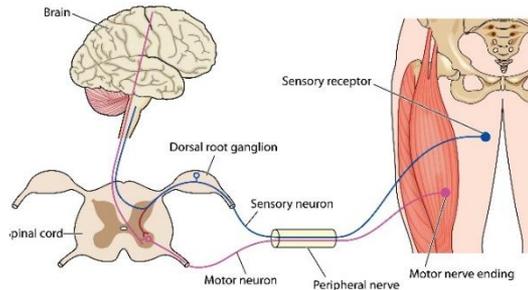
Q Therapeutics社との共同研究にかかる対象疾患例について

筋萎縮性側索硬化症(ALS)

体を動かすための神経系（運動神経）が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感（視覚、聴覚、味覚、触覚、嗅覚）は正常であり、知能の低下もありません。

病状の進行が極めて速い一方で、有効な治療法は確立されていません。

日本では指定難病とされています。



- 【症状】
- ・ろれつが回らない
 - ・嚥下障害
 - ・歩行障害
 - ・呼吸障害
- など



横断性脊髄炎(TM)

脊髄の一部が横方向にわたって炎症を起こすことによって発生する神経障害です。

通常、腰部の痛みや筋肉衰弱やつま先や脚の異常な感覚などの症状が突然発症することで始まり、その後急速に、麻痺や閉尿や排便制御の喪失などの深刻な症状がみられます。

一部の患者は障害を残さずに完治しますが、中には日常生活に支障をきたすほどの障害が残ってしまう患者もいます。

原因は特定されておらず、効果的な治療法は確立されていません。



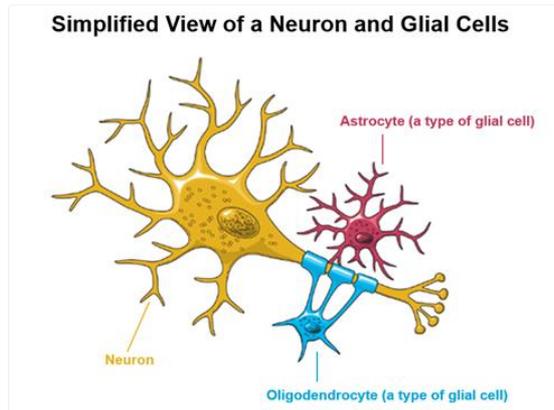
Q Therapeutics社について

Q Therapeutics Inc. (米国ユタ州、ソルトレイクシティ) は中枢神経系疾患および損傷を治療するための幹細胞製品の開発を行っている企業です。

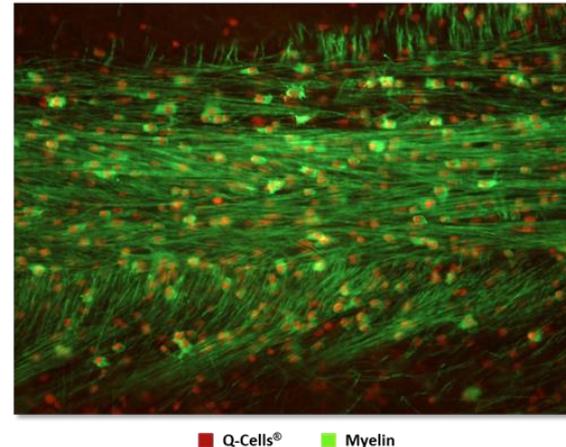
同社の最初の幹細胞製品であるQ-Cell®は、体内で神経グリア細胞に分化し、疾患によってダメージを受けた中枢神経の機能を回復または維持することが期待されます。

Q-Cell®は、多発性硬化症 (MS)、横断性脊髄炎 (TM)、脳性麻痺、脳卒中、筋萎縮性側索硬化症 (ALS)、ハンチントン病、脊髄損傷、外傷性脳損傷およびアルツハイマー病といった、広範囲の中枢神経障害を治療する目的に適しています。

現在、米国FDAによってTMおよびALSを対象とした早期臨床試験の実施にかかる承認が得られています。



Widespread Production of Myelin in Mouse Brain After Transplant of Q-Cells®



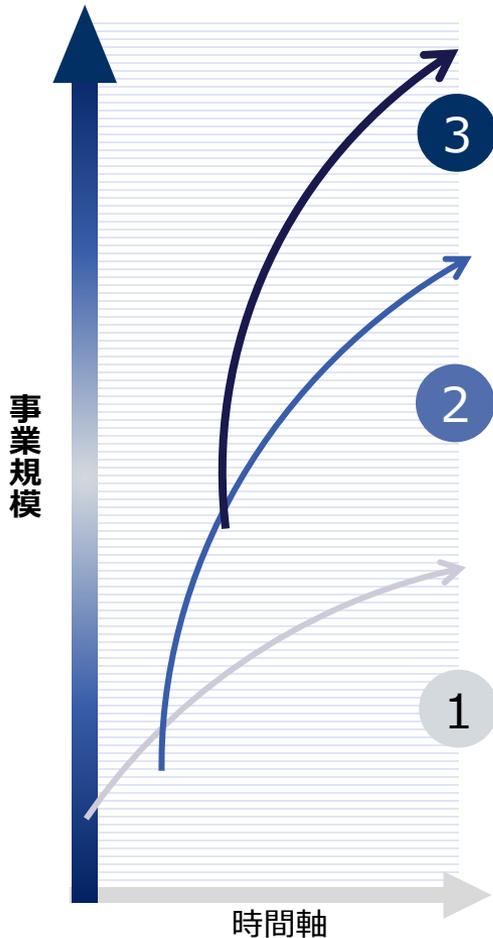
当社事業戦略における本共同研究の位置付け

Q Therapeutics Inc.との共同研究開始により、iPS細胞を活用した細胞医薬品やiPS細胞バンクへの展開を加速してまいります。

2050年世界
市場規模予測

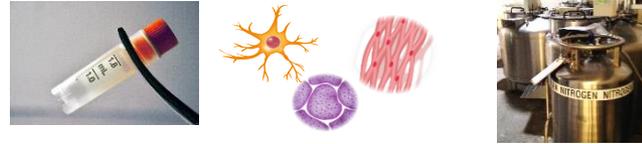
■ 再生医療進出のロードマップ

■ 戦略的位置づけ



**iPS細胞を
活用した
細胞医薬品や
iPS細胞バンクへの展開**

次世代RNAリプログラミング技術によるアライアンスを進め、再生医療の基盤技術を提供するリーディングカンパニーへ



**体性幹細胞を
活用した
細胞医薬品への展開**

ステミメント社との協業を通じて細胞医薬品の開発ノウハウを蓄積し、再生医療企業としての地位を獲得



**再生医療向け
培地・試薬製品への
展開**

臨床に適した製品群で当社技術のユーザー基盤を拡大



約38兆円

約3兆円

エクソソーム解析

- 尿中のエクソソームを効率よく※捕捉し、RNAを抽出する
日立化成開発の研究用キットを利用
- 腎移植後の拒絶の有無を患者の尿から迅速かつ簡便に検査可能
- がん領域検査への応用により拡大余地が大きい



進捗及び今後の予定

- 2017年 国内の大学病院を中心に臨床研究を実施中
- 2018年 臨床研究で得られたデータに基づき**新規の検査受託を開始予定**

※補捉効率>90%

1. 平成30年3月期 第2四半期 事業進捗

- 全体像
- (1) 研究支援事業
- (2) メディカル事業

2. 平成30年3月期 第2四半期 決算概要

損益計算書

| (単位：百万円) | 平成29年3月期 2Q実績 | 平成30年3月期 2Q実績 | 増減 | |
|-----------------------|------------------|------------------|------|--------|
| | | | 金額 | 比率 |
| 売上高 | 516 | 446 | △70 | △13.7% |
| うち、製品売上高 | 288 | 321 | 33 | +11.5% |
| うち、役務収益 | 228 | 124 | △103 | △45.5% |
| 売上総利益 | 219 | 174 | △45 | △20.7% |
| 販売費及び一般管理費 | 689 | 710 | 21 | +3.2% |
| うち、研究開発費 | 116 | 77 | △38 | △33.4% |
| うち、のれん及び 無形固定資産償却費 | 106 | 106 | 0 | — |
| 営業利益又は損失(△) | △469 | △536 | △67 | — |
| 経常利益又は損失(△) | △601 | △416 | 185 | — |
| 当期純利益又は損失(△) | △587 | △435 | 151 | — |

貸借対照表

| (単位：百万円) | 2017年3月末 | | 2017年9月末 | | 増減 |
|----------------|--------------|---------------|--------------|---------------|------------|
| | 金額 | 構成比 | 金額 | 構成比 | |
| 流動資産 | 5,910 | 75.2% | 6,294 | 74.8% | 383 |
| うち、現金および預金 | 3,413 | — | 3,847 | — | 433 |
| うち、有価証券 | 1,999 | — | 1,999 | — | 0 |
| 固定資産 | 1,943 | 24.7% | 2,125 | 25.2% | 182 |
| 総資産 | 7,854 | 100.0% | 8,419 | 100.0% | 565 |
| 流動負債 | 281 | 3.6% | 213 | 2.5% | △68 |
| 固定負債 | 203 | 2.6% | 196 | 2.3% | △7 |
| 純資産 | 7,368 | 93.8% | 8,009 | 95.1% | 641 |
| 負債及び純資産 | 7,854 | 100.0% | 8,419 | 100.0% | 565 |

【行使価格修正条項付き第12回新株予約権（第三者割当て）について】

- 2017年7月26日で行使完了。最終的な調達額は約21億円となった。

- ① **iPS細胞ビジネス：研究支援事業とメディカル事業**

- ② **研究支援事業：事業領域の拡大とグローバル化の推進(インド)**

- ③ **メディカル事業：iPS細胞・再生医療プロジェクトの開始**

本資料取扱に関するご注意

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に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

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