

東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2019年3月期
決算説明会

2019年6月7日



1. 2019年3月期 事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

2. 2019年3月期 決算概要

【全体】

- BioServe India社の買収によりインドへ進出
- ゲノム編集およびゲノム解析を加えた強固な技術基盤を確立

【研究支援事業】

- 日米欧の3拠点でiPSサービスをスタート
- iPS細胞のゲノム編集ビジネスを新規スタート
- 次世代シーケンシング遺伝子解析サービスをスタート

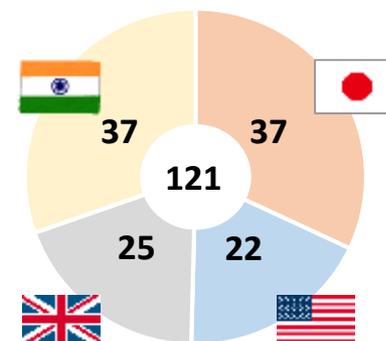
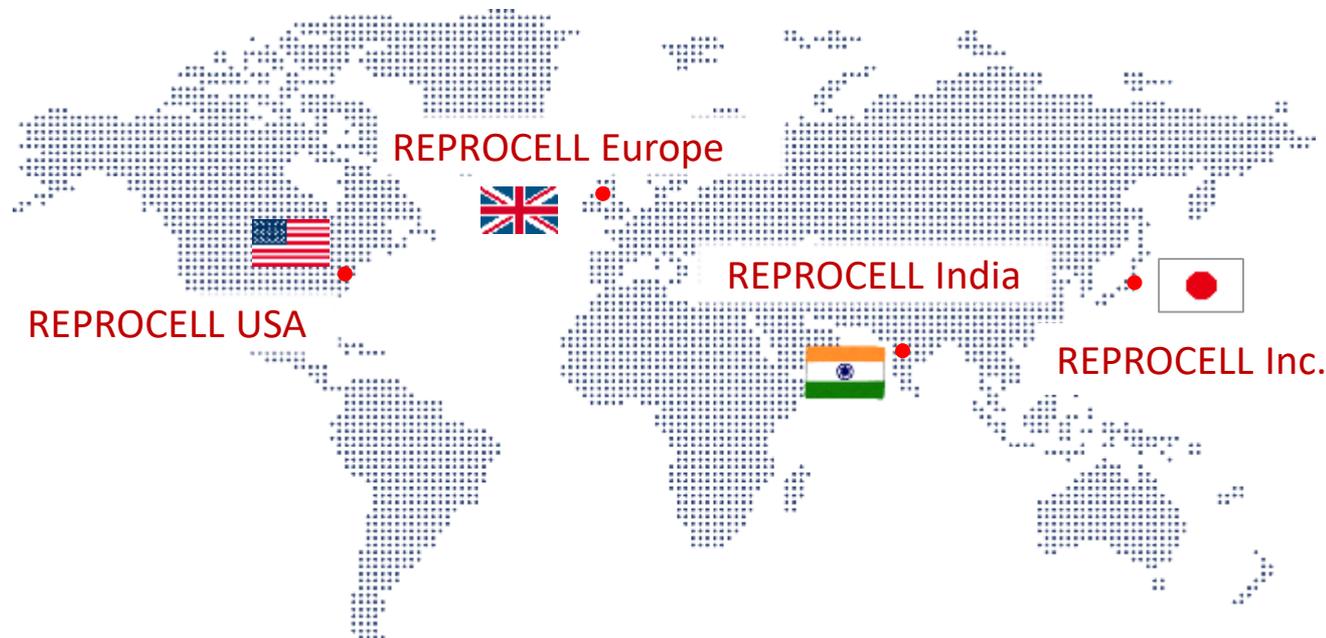
【メディカル事業】

- ステムカイマルの治験計画がPMDAを通過。オーファンに指定。
- ALS・横断性脊髄炎の治療を目指したiPS神経グリア細胞の研究開発が進捗
- 殿町・リプロセル再生医療センターを開設
- 当社の検査項目が保険収載

REPROCELLグループ



日本、米国、英国、インドの4拠点で事業をグローバルに展開しています



人員構成
2019年3月末現在



アメリカ



イギリス



インド

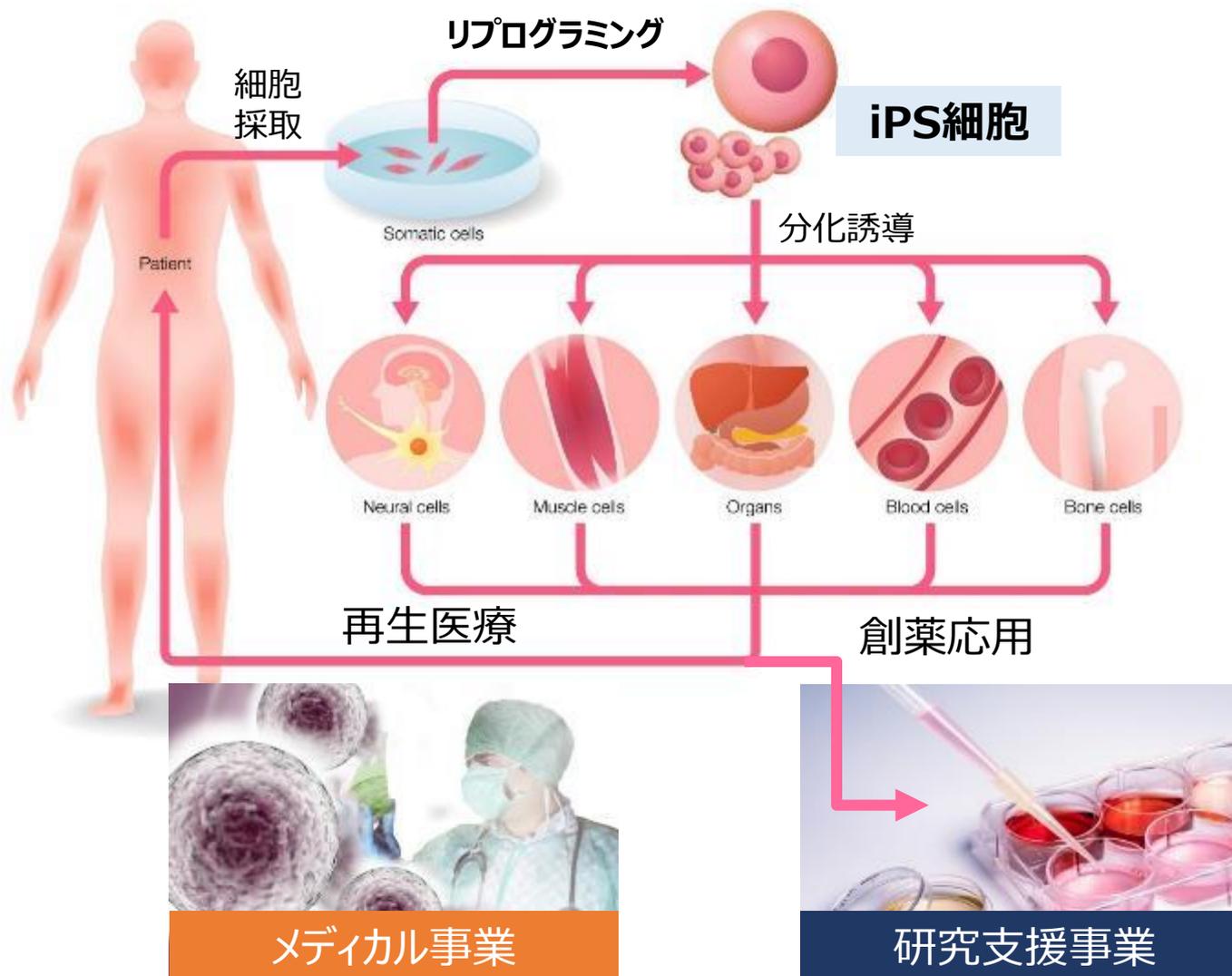


本社

- **積極的なグローバル化の推進**
- **研究支援とメディカルによる持続的な成長シナリオ**
- **最先端技術による技術優位性の確保**

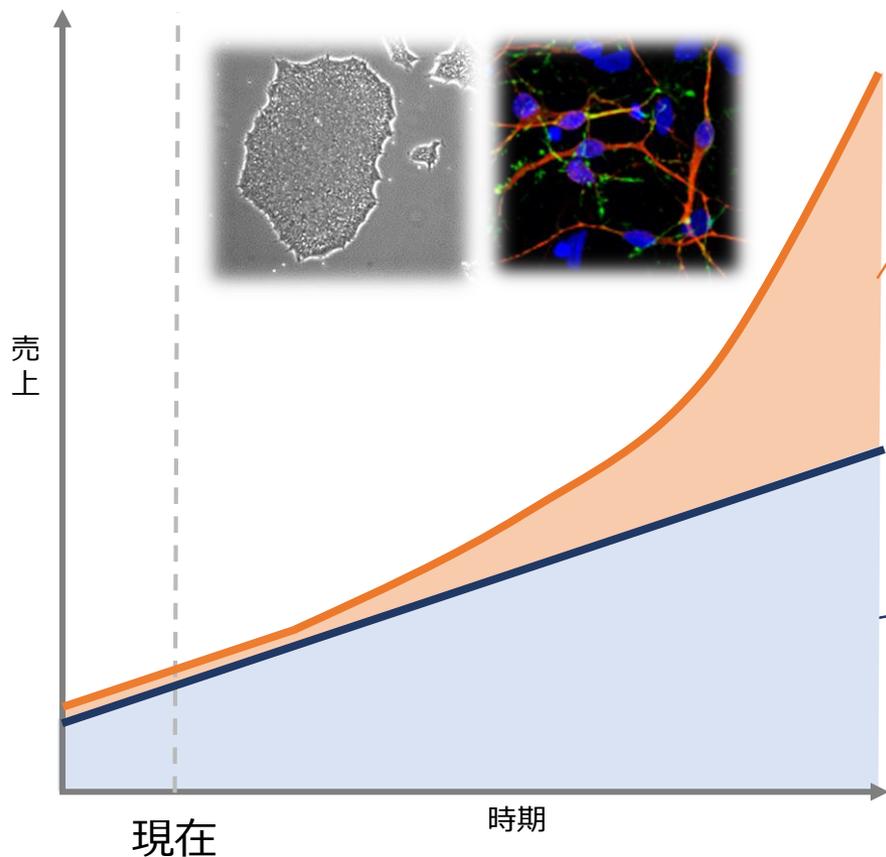
iPS細胞について

iPS細胞事業を「研究支援事業」と「医療事業」の2つの分野に分けて推進して参ります



事業セグメントと成長戦略

短中期的な事業の柱として**研究支援事業**を推進し、中長期的な成長事業として**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。

リプロセルの技術プラットフォーム

リプロセルでは提携も含め、最先端の細胞技術プラットフォームを有しております



生体試料
細胞バンク

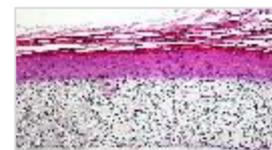
ヒト組織
薬剤応答試験



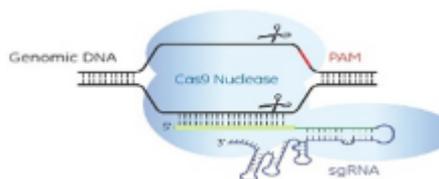
次世代
シーケンス



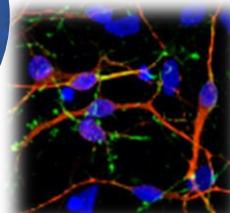
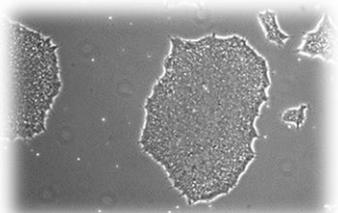
3次元組織
モデル



ゲノム編集
CRISPR/Cas9



iPS細胞
分化誘導



世界的な研究ネットワーク



Norio Nakatsuji, Ph.D.
Founding director of iCeMS
at Kyoto University



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



Rudolf Jaenisch, M.D.
Whitehead Institute, MIT



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



Mahendra Rao, MD, PhD
Founding director of
CRM at NIH
MAGiQ Therapeutic, CSO



Hiroyuki Mizuguchi, Ph.D.
Osaka University



Stefan Przyborski, Ph.D.
REPROCELL EU, CSO
Durham University, UK



Wado Akamatsu, M.D., Ph.D.
Juntendo University



Amer Rana, Ph.D.
Cambridge University UK



Katsumi Matsuura, M.D., Ph.D.
Tokyo Women's Medical
University

1. 2019年3月期 事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

2. 2019年3月期 決算概要

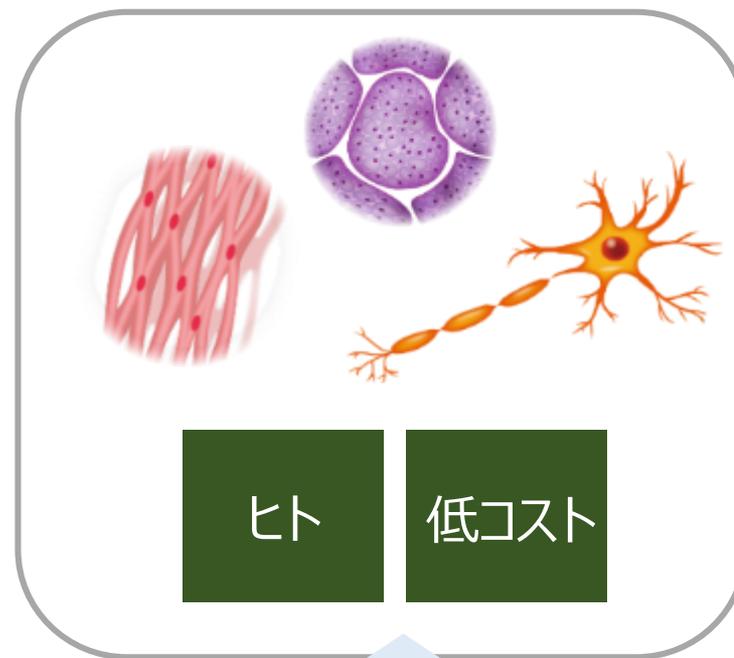
動物実験からヒト細胞を使った実験へ

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。リプロセルではヒトiPS細胞の製品/サービスを中心に展開しております。

動物実験



ヒト細胞を使った実験



REPROCELL

豊富な製品・サービス

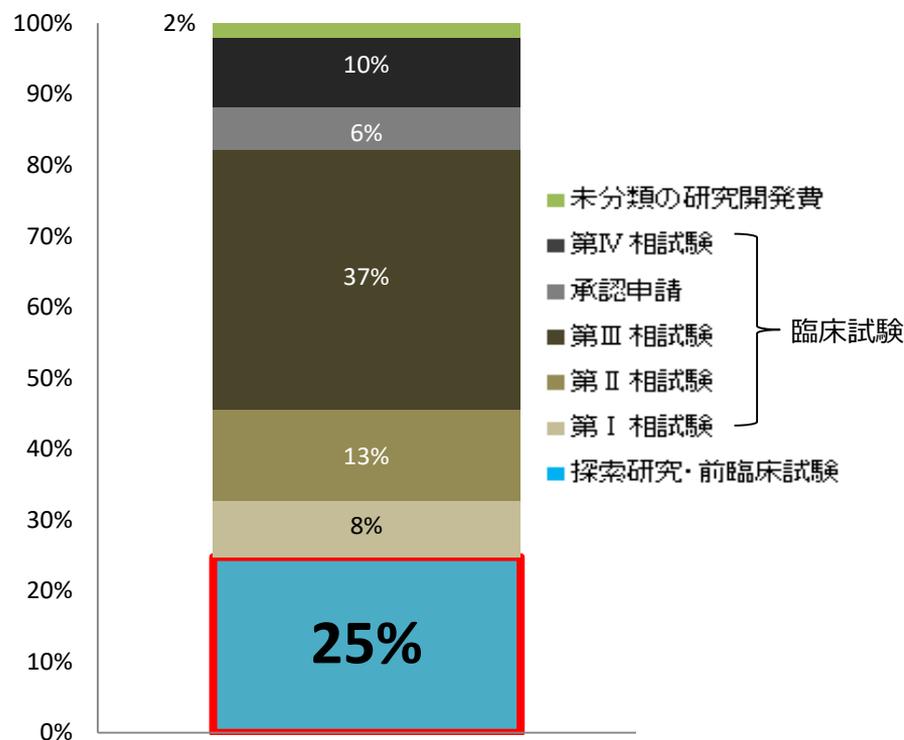
研究支援事業の市場規模

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」

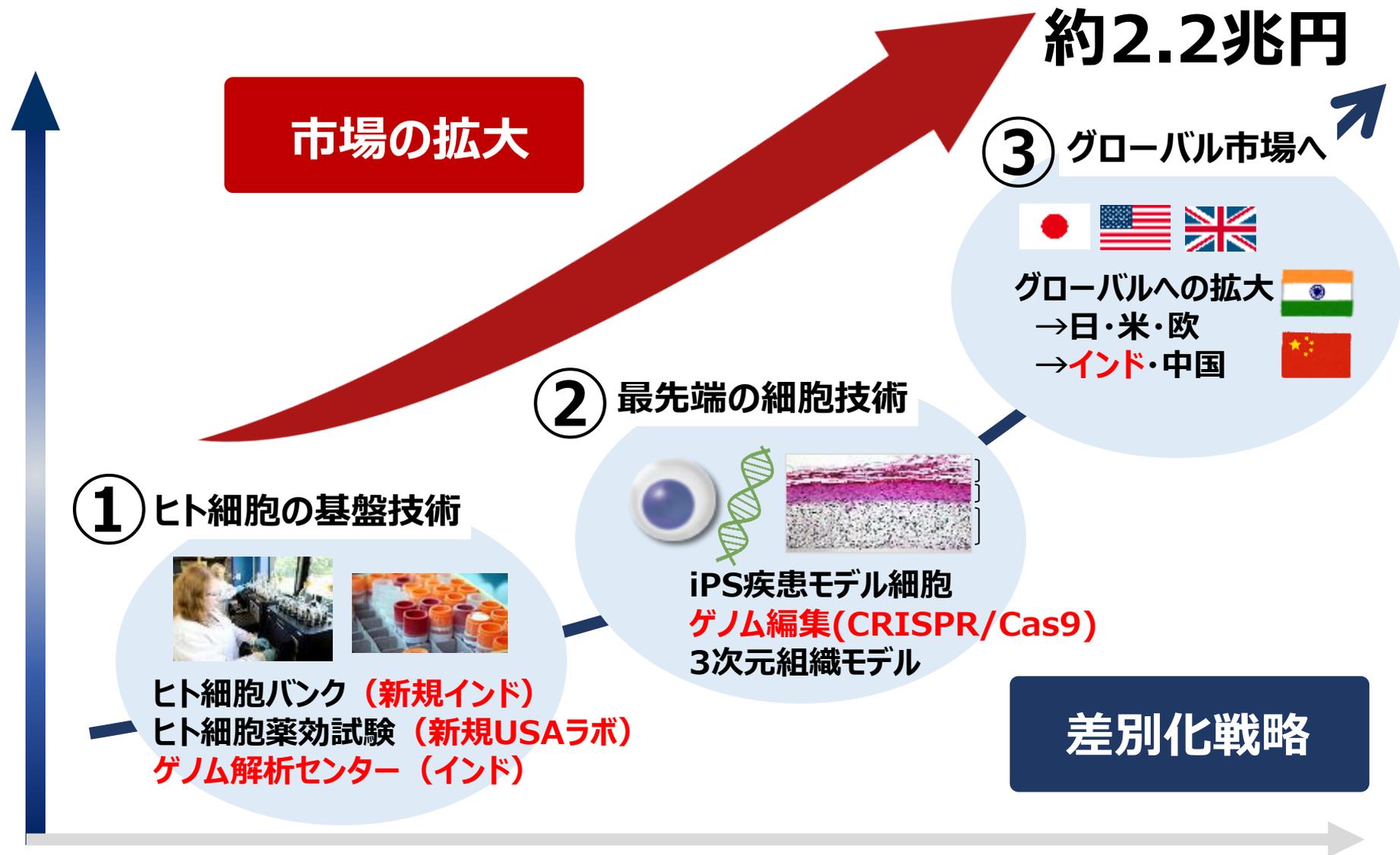
製薬メーカーの創薬プロセス別R&D費内訳



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



iPS細胞の創薬応用

創薬応用可能なiPSC由来疾患モデル細胞を製薬企業等に提供しております



患者由来

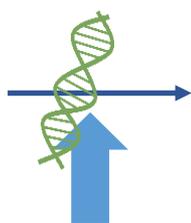


患者由来型

分化誘導



健常者iPS細胞



ゲノム編集
(CRISPR-SNIPER)



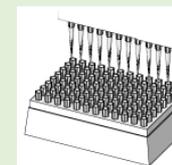
ゲノム編集型

分化誘導



疾患モデル細胞

製薬企業



創薬スクリーニング



Cas9タンパク質が
狙ったゲノムDNA配列を切断



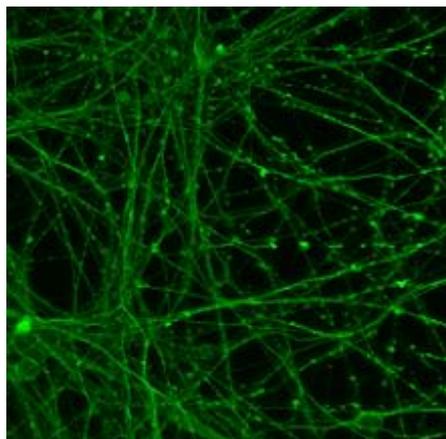
修復



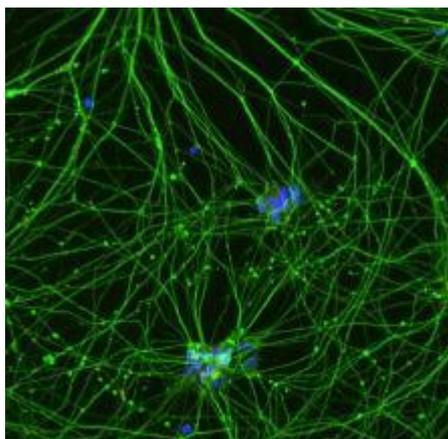
任意の遺伝子配列の挿入
(ノックイン)

iPS細胞由来の様々な細胞

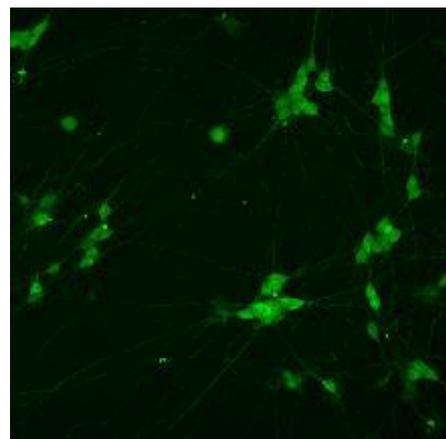
リプロセルでは、iPS細胞から様々な種類の細胞を作製しています



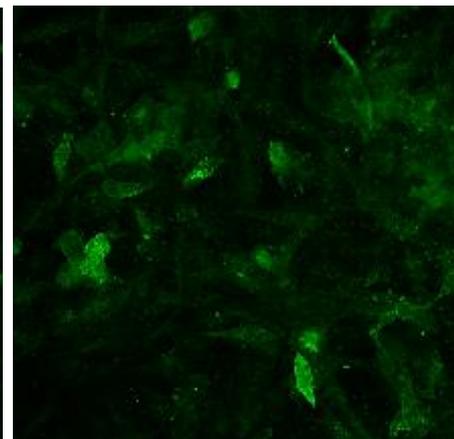
中枢神経細胞



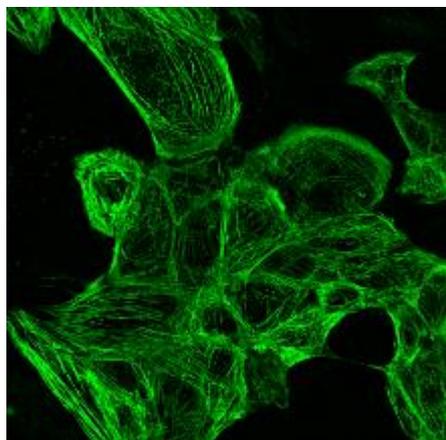
運動神経細胞



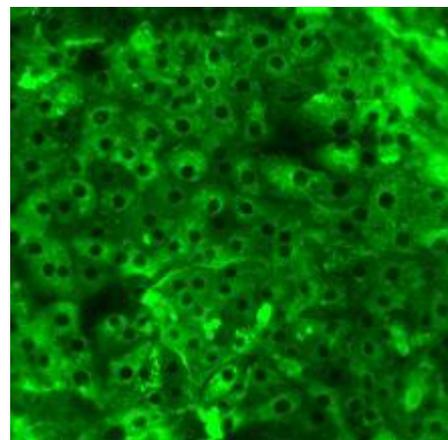
感覚神経細胞



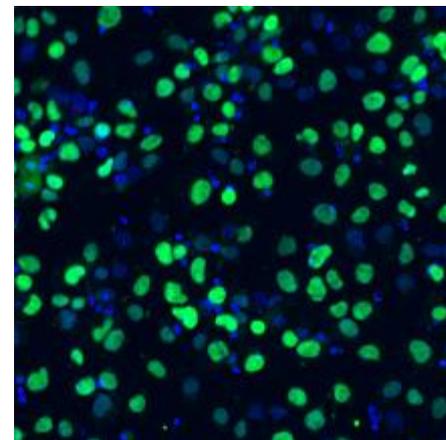
神経グリア細胞



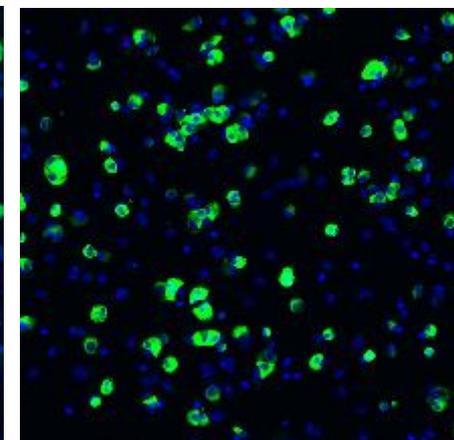
心筋細胞



肝細胞



小腸細胞



膵臓細胞

■ GenAhead社概要

社名：株式会社GenAhead Bio

設立：2018年2月1日

所在地：神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1
(湘南ヘルスイノベーションパーク内)

事業概要：ゲノム編集、核酸送達技術に基づく創薬支援と開発



CRISPR/Cas9

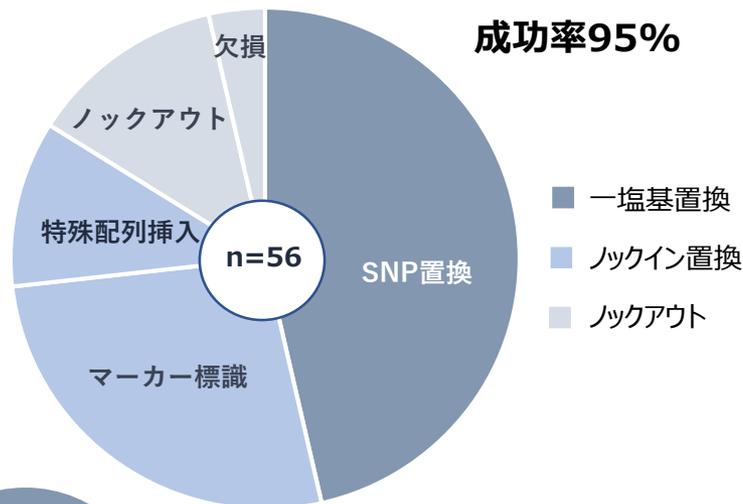


GenAhead Bio
SNIPER



REPROCELL
iPS細胞

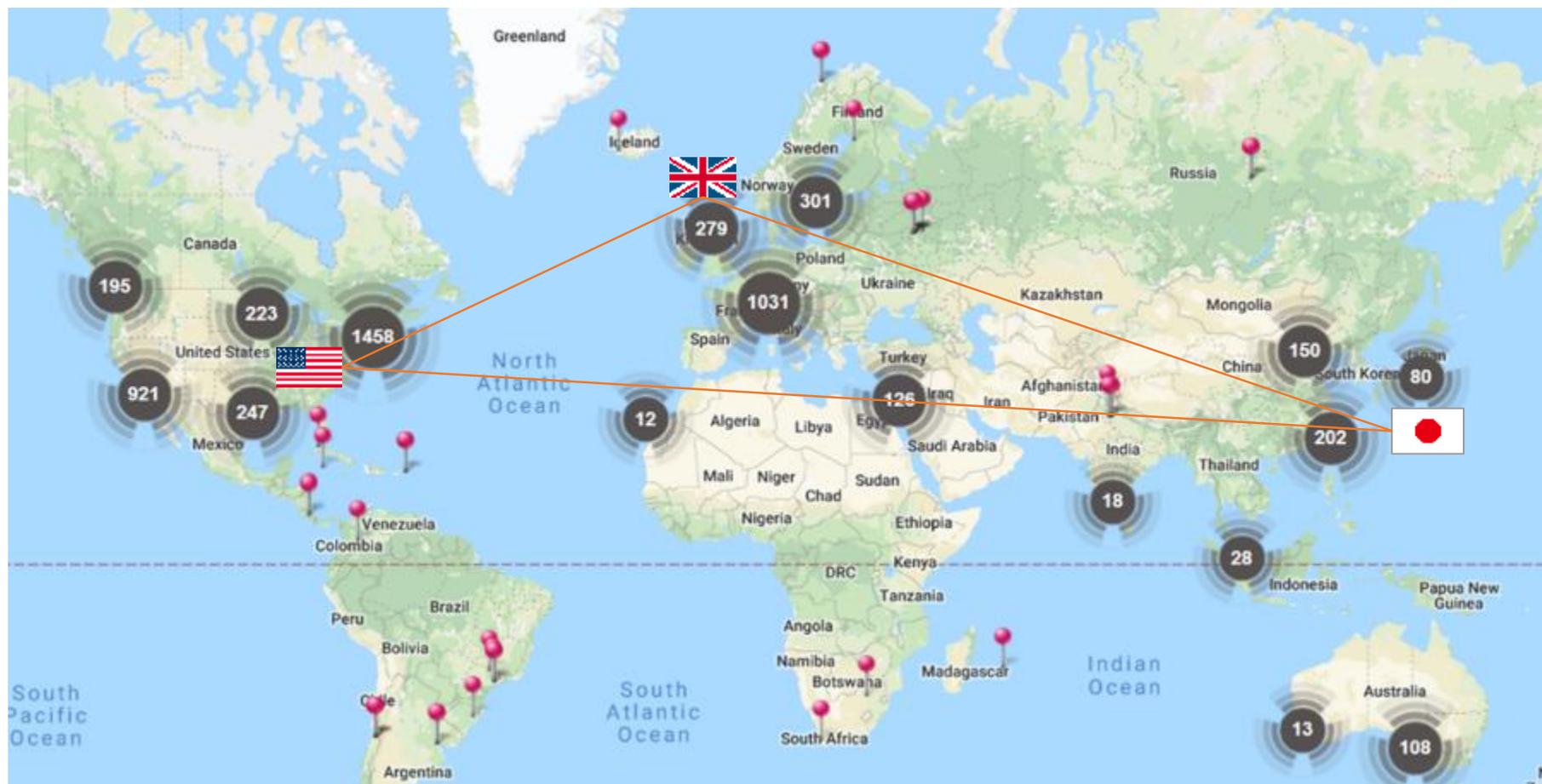
■ CRISPR-SNIPERの実績



- GenAhead Bio社で培われた遺伝子編集技術により高度な遺伝子編集が可能
- 独自技術の次世代CRISPR-SNIPERにより、これまで成功率95%以上の実績
- CRISPR/Cas9の基本特許の商用ライセンスを取得し、創薬研究にも使用可能

対象顧客の世界分布

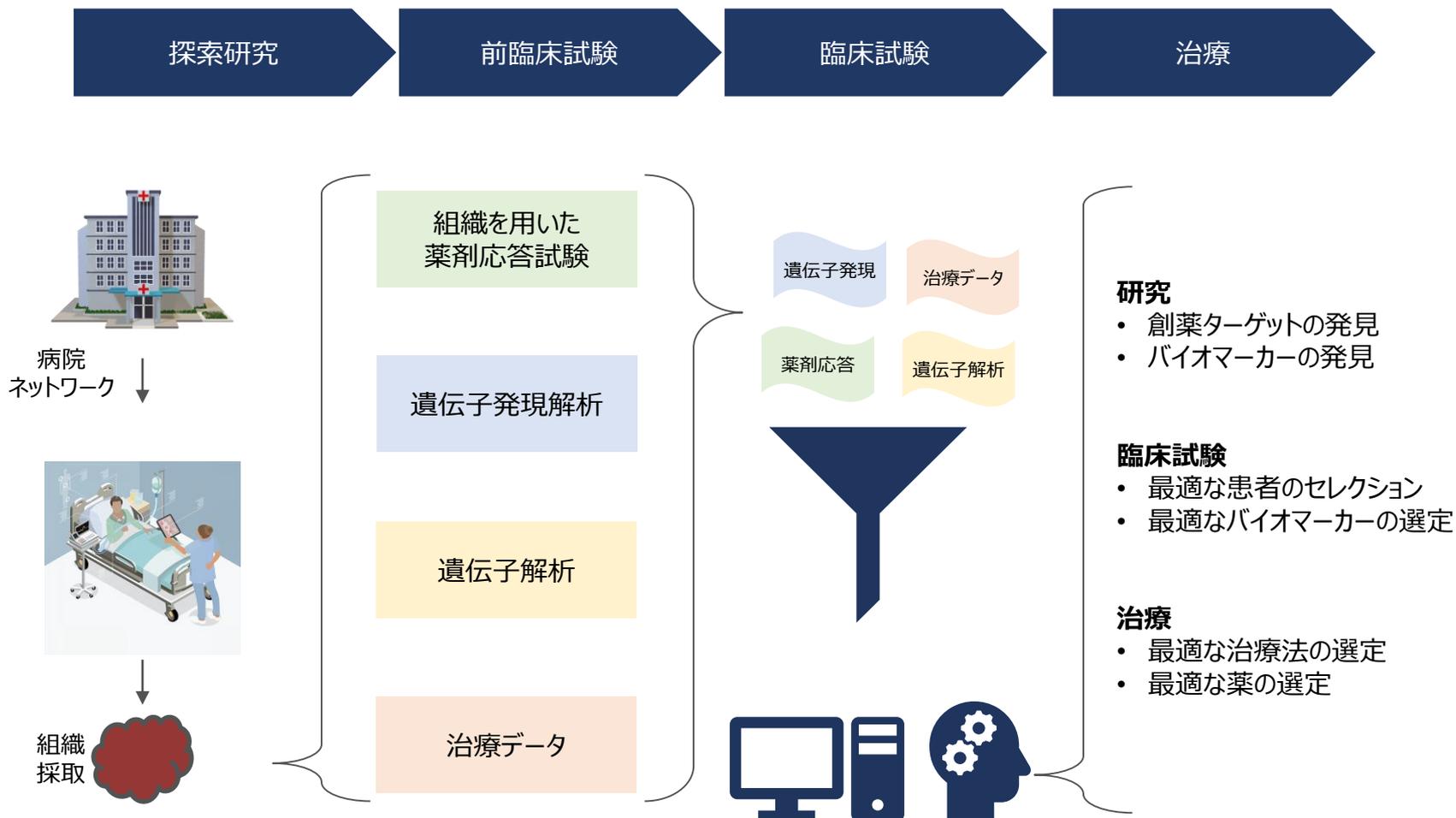
対象顧客であるバイオテック企業数の多いアメリカ、ヨーロッパ、日本にラボを設置し、iPSサービスビジネスを積極的に展開しています。



Biotech companies (therapeutics and diagnostics), source Biotechgate

個別化医療への展開

当社の高度な細胞技術プラットフォームにより、個別化医療にも取り組んでまいります



1. 2019年3月期 事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- **メディカル事業**

2. 2019年3月期 決算概要

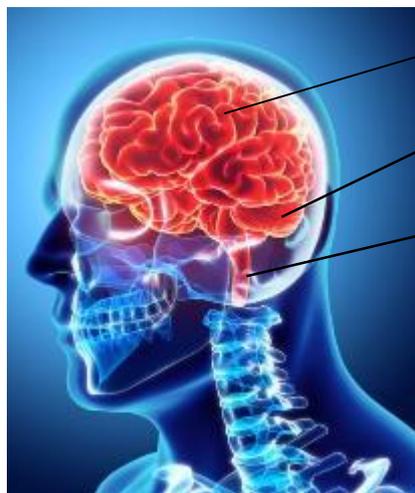
リプロセルの再生医療製品品目

幹細胞を活用した2品目の他家製品開発を進めています。

	品目①	品目②
名称	Stemchymal® ステムカイマル® 	iGRP 
開発パートナー	台湾ステミネント社 	米国Qセラ社 
契約形態	ライセンス	共同開発
細胞種	体性幹細胞 (脂肪組織由来MSC)	iPS細胞由来グリア前駆細胞
対象疾患	脊髄小脳変性症ほか	各種 中枢神経系疾患 <ul style="list-style-type: none"> 筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 横断性脊髄炎 (TM) 多発性硬化症、脊髄損傷ほか
地域	日本	日本、他
製造		

脊髄小脳変性症

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い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。



大脳：知覚や思考を制御

小脳：歩行などの運動を制御

脳幹：呼吸などを制御

神経細胞の変性により徐々に機能を失ってしまう

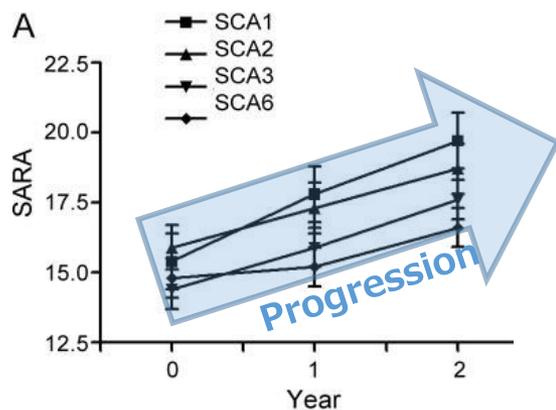
- ・歩行障害（ふらつく、まっすぐ歩けない）
- ・嚥下障害（うまく食べ物が飲み込めない）
- ・言語障害（ろれつが回らない）
- ・呼吸障害
- ・手が震える、字がうまく書けない



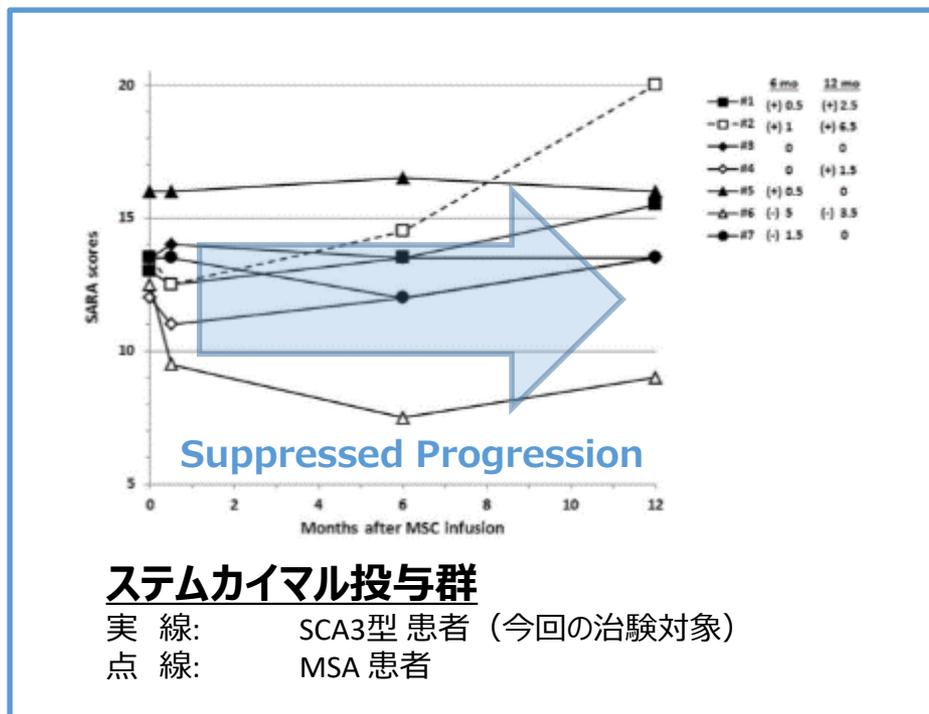
既存薬の国内年間売上げ
は約180億円

脊髄小脳変性症を対象とした台湾第I/II相臨床試験データ

- 症状の進行抑制効果を示唆するデータが得られた



対照群(Historical Control)



ステムカイマル投与群

実線: SCA3型患者 (今回の治験対象)
 点線: MSA患者

2018年12月 厚生労働省により、ステムカイマル®が希少疾病用再生医療等製品として指定されました。米国ではFDAよりオーファンドラッグ指定を受けております。

主な指定基準*

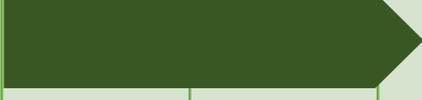
- 対象患者数（本邦において5万人未満）
- 医療上の必要性
- 開発の可能性

主な支援措置

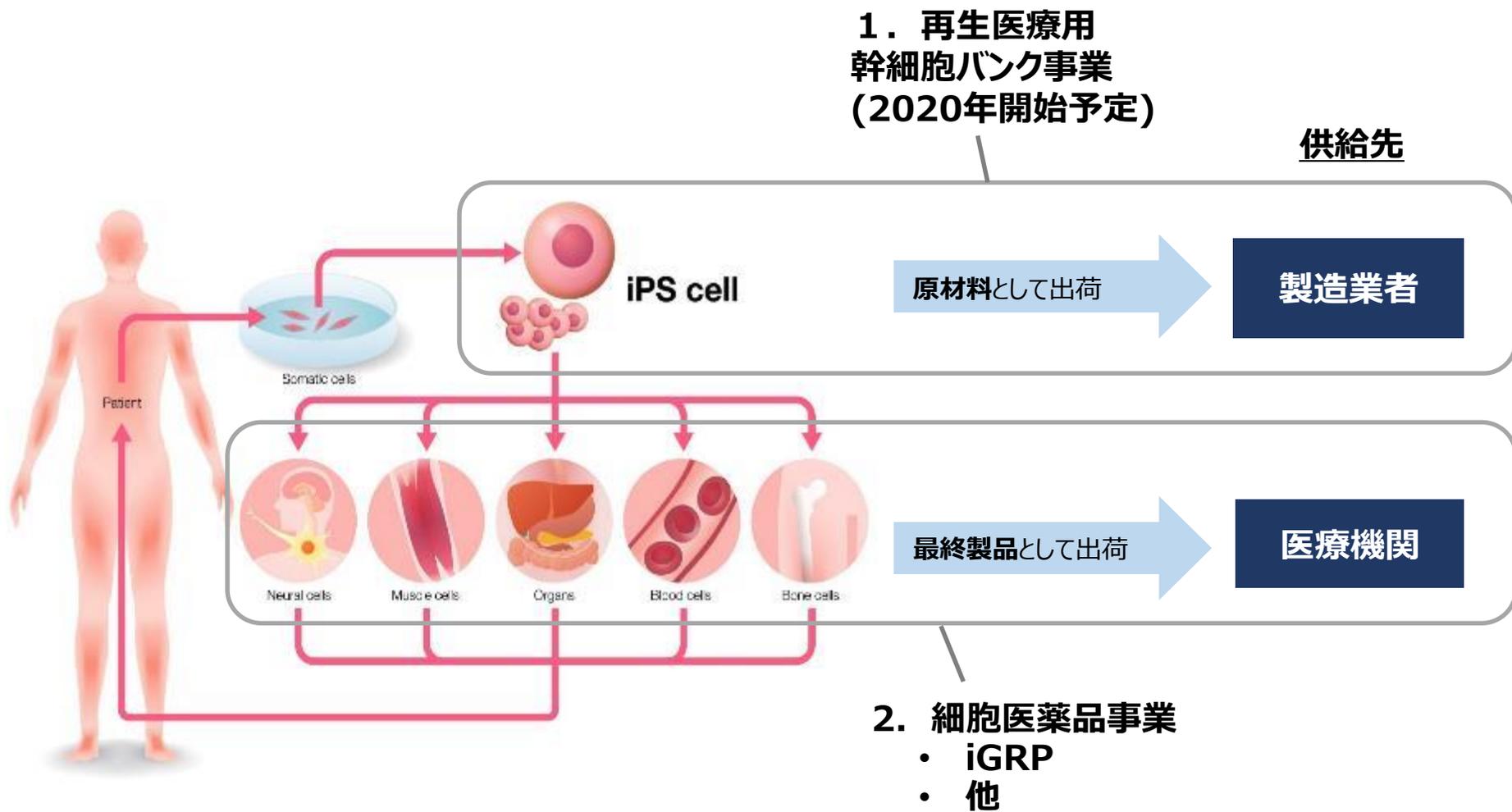
1. 開発経費に対する助成金の交付
2. 優先審査
3. 税制措置

* 医薬品医療機器法第77条の2

日米で2019年内の治験開始を目指して製造及び施設立上げを実施中

対象疾患	国および地域	開発企業	基礎研究	前臨床	治験	承認	製造販売
脊髄小脳変性症	台湾	ステミネント				早期臨床試験で安全性を確認。 現在第II相臨床試験実施中	
脊髄小脳変性症	米国	ステミネント				2018年7月 治験計画がFDAの審査を通過	
脊髄小脳変性症	日本	リプロセル				2018年7月 治験計画がPMDAの審査を通過	

iPS細胞を用いた再生医療の事業モデル



2018年、中枢神経系疾患に対する新たな治療戦略の取り組みとして、米国Q Therapeutics Inc. (以下、Qセラ社) と共同で、iPS細胞由来グリア前駆細胞 (iGRP) を開発する事業を開始しました。

原料にiPS細胞を用いることで、品質の安定したグリア前駆細胞 (GRP) の大量生産が可能になります。

Q THERAPEUTICS
REPROCELL
新規開発品
iGRP

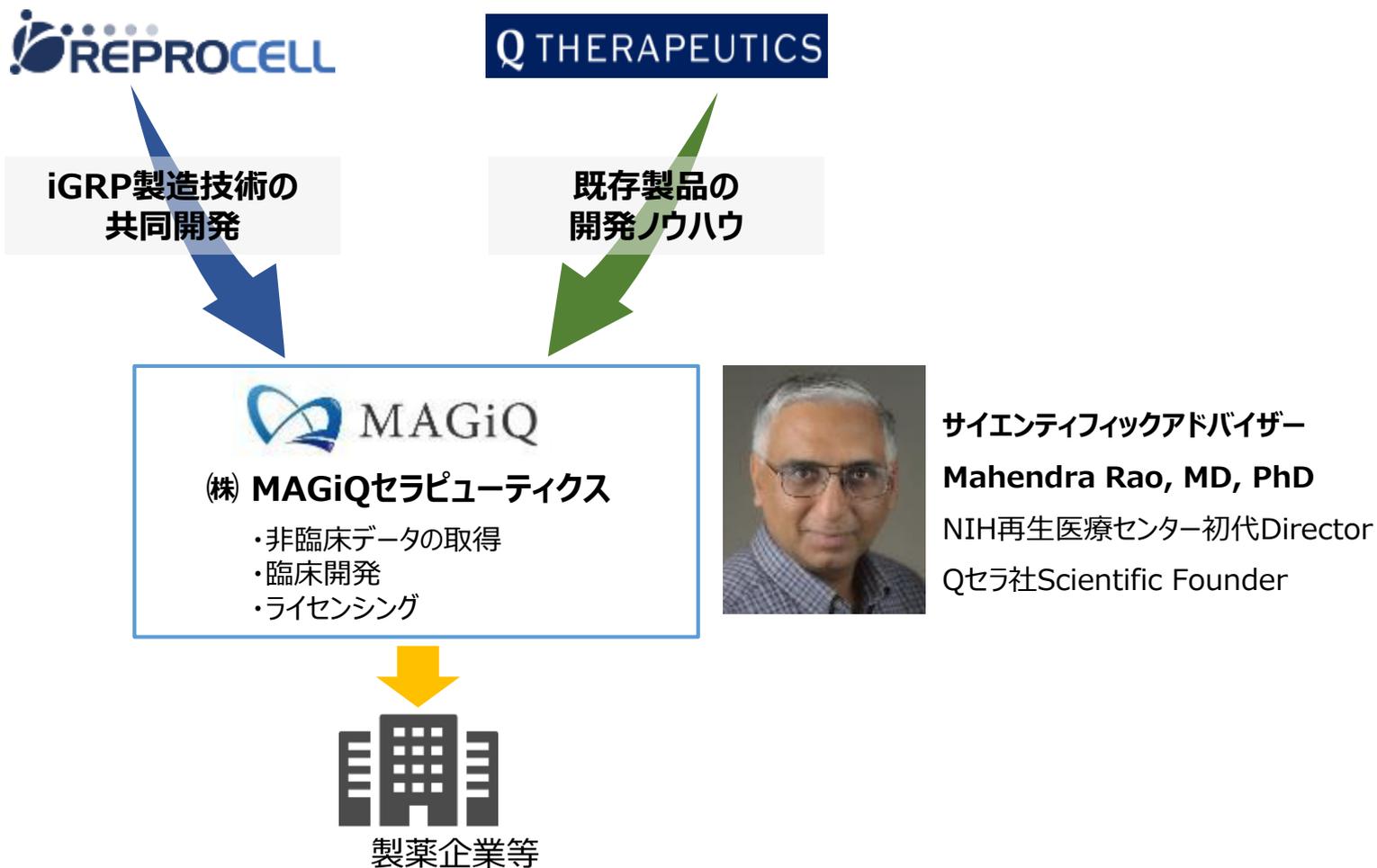


対象疾患

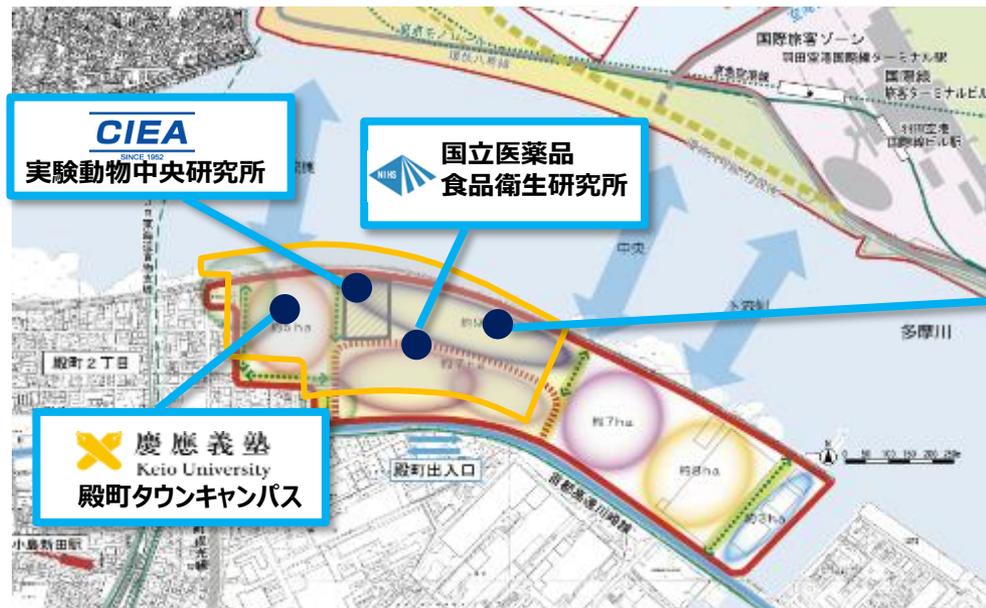
- 横断性脊髄炎
- ALS
- 多発性硬化症
- 他

GRPの対象疾患に関する医療経済データ（米国）

	初期ターゲット		適応拡大の可能性				
	横断性 脊髄炎	筋萎縮性 側索硬化症 ALS	脊髄損傷	ハンチントン病	多発性 硬化症	パーキンソン病	アルツハイマー病
米国患者数	44,000	30,000	280,000	30,000	400,000	1,000,000	5,000,000
米国年間発症者	1,700	5,600	12,000	1,500	10,400	—	—
米国民の経済 負担年額 (円換算)	1,200億円	1,100億円	6,600億円	—	6,600億円	16兆円	110兆円



2019年4月、殿町・リプロセル再生医療センター開設 今年度後半の稼働開始を予定



再生細胞医療産業化拠点
ライフバージョンセンター (LIC)
(神奈川県が設置・運営)



殿町・リプロセル再生医療センター開設
(1階)

- 川崎市殿町地区には、最先端のライフサイエンス産業・研究機関が66機関集積
- リプロセルは、殿町を拠点として**産学、および企業間連携を強化し**、再生・細胞医療の有望なシーズの実用化・産業化に貢献します

1. 2019年3月期 事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

2. 2019年3月期 決算概要

連結損益計算書

(単位：百万円)	2018年3月期 実績	2019年3月期 実績	主な増減
売上高	926	1,088	
製品売上高	627	600	
役務収益	299	488	* 創薬支援事業受託サービスの増加 * RPC INDの買収に伴う増加 * 保険収載に伴う臨床検査サービスの増加
売上総利益	381	496	
販売費及び一般管理費	1,406	1,277	
研究開発費	191	273	* iGRP研究開発費用 * ステムカイマル治験費用
販売費及び 一般管理費	1,215	1,004	* RPC USAのオフィス統合による経費削減 * RPC USA及びRPC EUの減損処理に伴うのれん等の償却費減少
営業利益又は損失(△)	△ 1,025	△ 781	
経常利益又は損失(△)	△ 935	△ 627	* CIP保有の投資有価証券の一部売却による持分法投資利益の計上
当期純利益又は損失(△)	△ 2,172	△ 628	

連結貸借対照表

(単位：百万円)	2018年3月末		2019年3月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	5,979	90.6%	6,202	82.8%	223
うち、現金及び預金	3,573	54.2%	4,112	54.9%	539
うち、有価証券	1,999	30.3%	1,600	21.4%	△ 399
固定資産	617	9.4%	1,287	17.2%	670
うち、無形固定資産	1	0.0%	112	1.5%	111
うち、投資有価証券	535	8.1%	929	12.4%	394
総資産	6,597	100.0%	7,489	100.0%	892
流動負債	261	4.0%	330	4.4%	69
固定負債	88	1.3%	88	1.2%	0
純資産	6,248	94.7%	7,071	94.4%	823
負債及び純資産	6,597	100.0%	7,489	100.0%	892

【現預金及び流動資産】

- 第14回新株予約権の行使による株式の発行による増加

【固定資産】

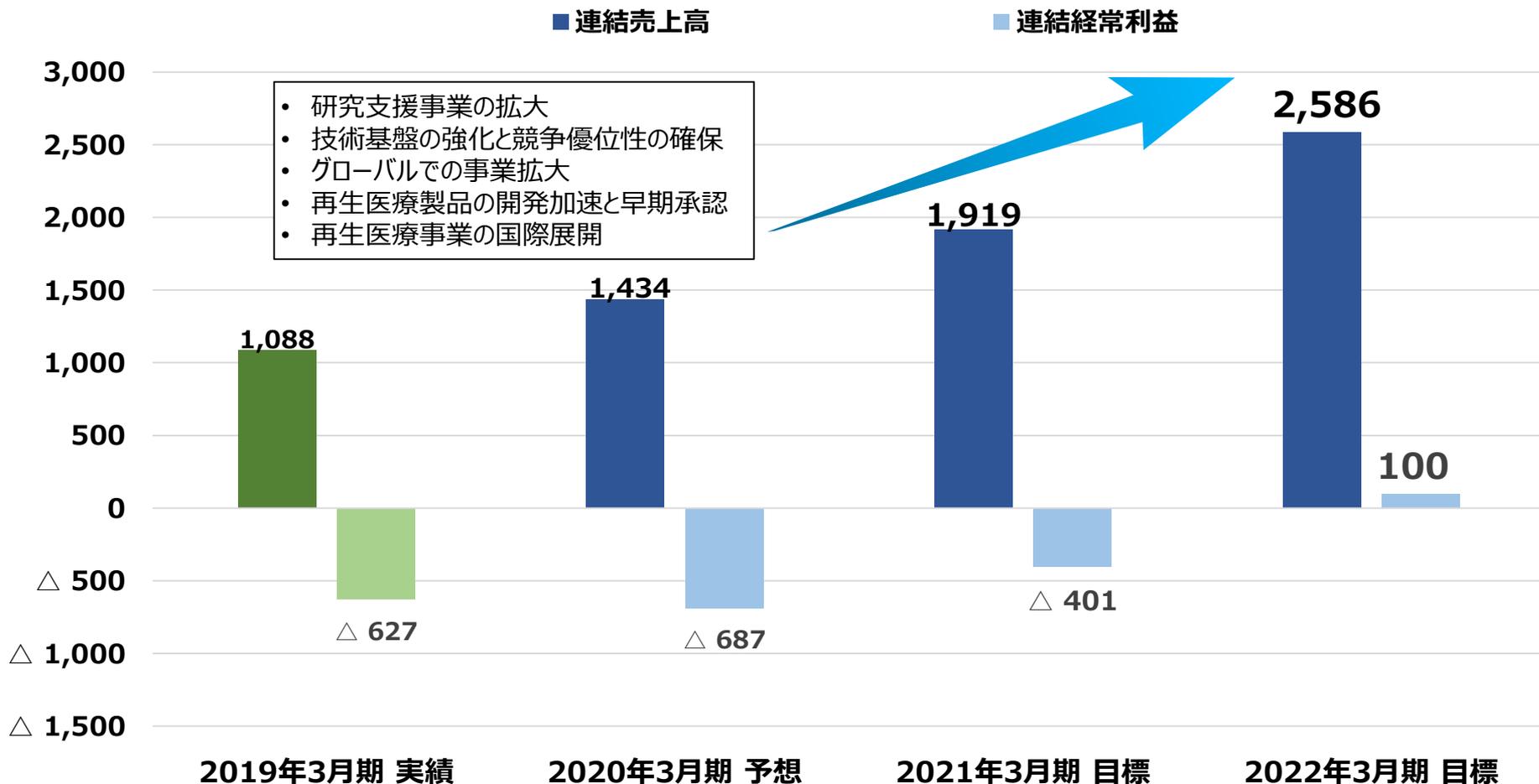
- Bioserve Biotechnologies India Pvt. Ltd.の買収等に伴う買収費用支出及びのれんの計上

【有価証券及び投資有価証券】

- 短期運用商品変更に伴う計上科目の変更

中期経営計画

短中期的には主に研究支援事業の拡大により収益を増加させてまいります。
 メディカル事業は、STEM細胞の早期の承認取得に向け事業を推進してまいります。



【全体】

- BioServe India社の買収によりインドへ進出
- ゲノム編集およびゲノム解析を加えた強固な技術基盤を確立

【研究支援事業】

- 日米欧の3拠点でiPSサービスをスタート
- iPS細胞のゲノム編集ビジネスを新規スタート
- 次世代シーケンシング遺伝子解析サービスをスタート

【メディカル事業】

- ステムカイマルの治験計画がPMDAを通過。オーファンに指定。
- ALS・横断性脊髄炎の治療を目指したiPS神経グリア細胞の研究開発が進捗
- 殿町・リプロセル再生医療センターを開設
- 当社の検査項目が保険収載

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

メットライフ新横浜ビル 9F

HP <https://www.reprocell.co.jp>