



2020年3月期～2022年3月期 中期経営計画

2019年5月14日

(コード番号:4978 JQ)

株式会社リプロセル

(URL <https://reprocell.co.jp/>)

問合せ先 経営管理部シニアマネージャー 吉村 美旋律

TEL: (045) 475-3887

1 中期経営計画における事業戦略とビジネスモデル

<事業の全体像>

当社の中核事業領域である iPS 細胞は、山中伸弥教授によるヒト iPS 細胞の発明以降、世界中で研究が盛んに行われております。

最近では、iPS 細胞を活用した病態解明や再生医療への応用など、実用的な研究開発が多く行われるようになりました。2017 年には、希少難病の患者から作製した iPS 細胞を活用して病態を解明し、新薬候補の治験へつなげた事例が報告され、さらに、再生医療に関しても、iPS 細胞を使った加齢黄斑変性およびパーキンソン病に関する臨床研究および治験が行われております。

当社では、前者のように iPS 細胞を病態解明や創薬研究に使用する事業を「研究支援事業」、後者の再生医療を「メディカル事業」と位置づけ、2つのセグメントに分け、推進しております。

現時点では、研究支援事業の売上が 80%以上を占めており、今後とも、短中期的な主力事業としてグローバルに推進してまいります。一方、メディカル事業では、現在、脊髄小脳変性症を対象とした再生医療製品 Stemchymal® (以下、ステムカイマル) および、横断性脊髄炎および筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 等の中枢神経系疾患を対象とした iPS 神経グリア細胞の研究開発を進めております。これら再生医療製品は中長期的な成長事業として、積極的な投資を行い、早期の製造販売承認の取得を目指します。

当社の基本事業戦略を下記にまとめます。

(1) 積極的なグローバル化の推進

当社では、日本に加え、米国、欧州、インドにも拠点を保有しております。いずれの拠点も、販売、製造、研究開発の機能を有しており、各拠点が有機的に連携しながらグループシナジーを追求しています。

営業では、各拠点がそれぞれの地域の顧客をカバーしており、時差や言語の壁なく営業活動を推進しております。日本市場に加え、バイオ業界における最大の市場である米国、それに続く欧州、さらに世界人口第2位を誇るインドの4拠点をカバーすることで、ターゲット顧客である世界中の多くの大学/公的研究機関および製薬企業等にアクセスが可能になりました。各地域で製造している製品やサービスを別の地域で販売するクロスセルも積極的に推進しており、引き続き、各地域において営業活動を強化してまいります。

(2) 研究支援事業とメディカル事業による継続的成長モデル

研究支援事業では、大学/公的研究機関および製薬企業等を顧客として、研究試薬や細胞などの研究用製品および iPS 細胞作製受託などのサービスを提供しております。研究用途であるため、医薬品のような製造販売承認は必要とされず、新しい技術を比較的短期間で事業化し収益を上げることができます。

現在、世界中の製薬企業では、動物愛護の観点や、ヒトと動物の種の違いによる試験結果の差といった問題点などから「動物実験からヒト細胞実験」への大きなシフトが進んでいます。今後、ヒト細胞実験が普及することで、これまで十数年かかっていた新薬開発のプロセスが大幅に短縮され、さらに、従来と比べて性能の高い新薬が開発できることが期待されています。中でもヒト iPS 細胞はその中心的存在として注目を集めており、例えば、アルツハイマー病患者の血液から作製した iPS 細胞を研究で使うことで、アルツハイマー病の病態解明および新薬開発が加速されると期待されています。

当社では、iPS 細胞を中心とした幅広い「ヒト細胞ビジネスプラットフォーム」を保有しており、競争優位性の高い製品やサービスを世界中で展開し短中期の収益の柱として推進しております。

メディカル事業では、再生医療および臨床検査を実施しております。再生医療に関しては、上市までに臨床試験を行い製造販売承認を取得する必要があるため、研究支援事業より事業化に時間が必要とされますが、日本では 2014 年の法改正により、世界で最も再生医療の産業化に適した環境が整いつつあります。「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（通称 薬機法）」では、治験において安全性が確認され、有効性が推定された再生医療等製品に対して早期承認（条件・期限付き承認）を与えることが可能になりました。これにより、患者様に対して新たな治療機会を早期に提供すると共に、治験期間の短縮や治験費用の削減が期待できます。

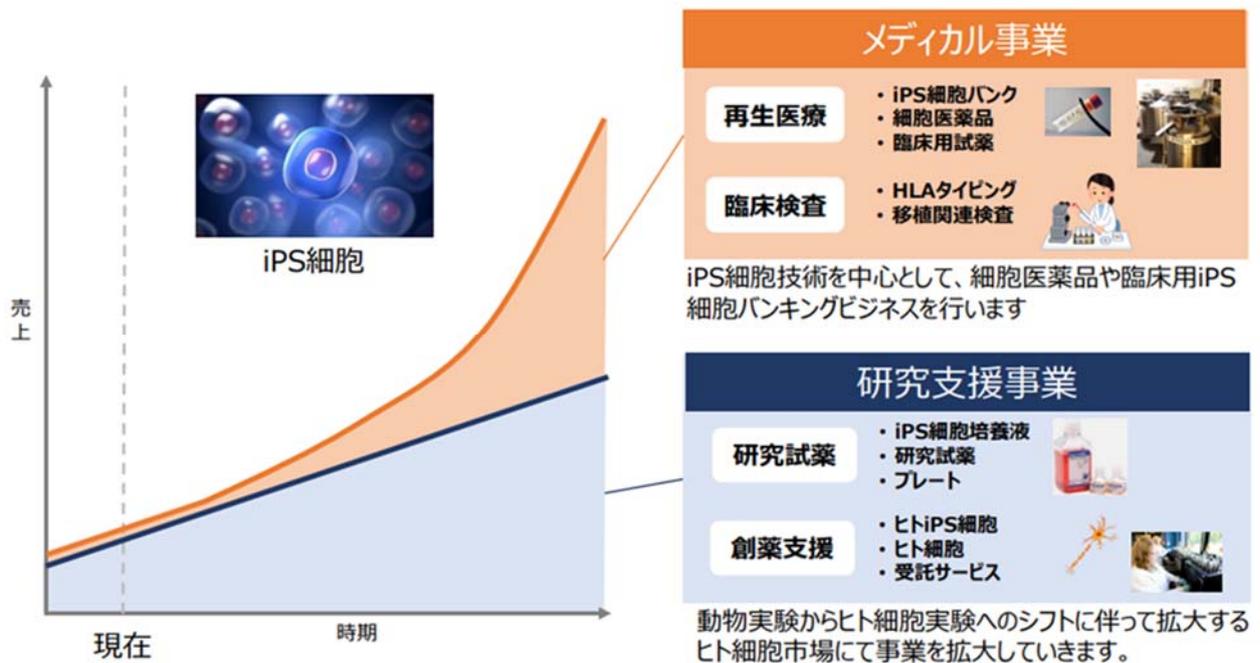
また、経済産業省の報告書（「平成 29 年度我が国におけるデータ駆動型社会に係る基盤整備 「根本治療の実現」に向けた適切な支援のあり方の調査」）によると、再生医療産業のグローバルでの市場規模は 2030 年で約 5～10 兆円となっており、今後、巨大市場に成長することが見込まれています。

このように、再生医療を中長期的な成長事業と位置づけ、早期の製造販売承認の取得を目指します。

短中期的な収益の柱である「研究支援事業」と、中長期的な成長事業である「メディカル事業」の両方を組み合わせることで、短期→中期→長期と、継続的な成長を目指します。

(3) 最先端技術による継続的な技術優位性の確保

iPS 細胞は世界中で研究開発競争が繰り広げられており、飛躍的に技術が進歩してきました。当社は、引き続き技術開発を積極的に推進することで競争力の強化を図ってまいります。また、リプロセルグループ内の各要素技術を組み合わせ、シナジーを追求することで競争優位性の高い新規ビジネスの開発を行ってまいります。引き続き、世界中のトップ大学および企業等とのコラボレーションを通じて、世界最先端の技術を積極的に開発・導入してまいります。



事業セグメントと成長戦略

2 当中期経営計画提出時点における前事業年度の総括

前事業年度の総括について、以下セグメント別にまとめます。

a. 研究支援事業

研究支援事業では、大学/公的研究機関および製薬企業等の研究所を顧客として、研究試薬や細胞などの研究用製品およびiPS細胞作製受託などのサービスを提供しております。最先端技術を集約した製品・サービスを上記研究機関に提供することで、最終的には画期的な新薬や治療法の開発に貢献して参ります。

当社では、第3世代RNAリプログラミング技術など、ヒトiPS細胞に関する世界最先端の技術プラットフォームを保有しており、さらに、がん細胞やヒト組織を医療機関から調達する幅広いネットワークも保有しております。これら技術優位性の高い「ヒト細胞ビジネスプラットフォーム」を最大限活用することで、「動物実験からヒト細胞実験」へのシフトを先取りした事業を進めております。具体的には、iPS細胞研究用の研究試薬類、患者の組織からiPSを作製する病態モデル細胞の作製、ヒト組織を用いた新薬の薬効薬理評価、ヒト生体試料のバンキングなどがあります。このように、ヒト細胞に関する最先端の製品・サービスを幅広く提供している点が当社の最大の強みになります。

前事業年度では、新規事業として、2018年10月、遺伝子改変サービスを当社の投資先であるGenAhead Bio社と共同で開始いたしました。同社は、ゲノム編集技術の専門家チームであり、高精度かつ高効率にゲノム編集ができる独自技術「SNIPER」を保有しております。最先端のゲノム編集技術として注目されているCRISPR/Cas9の精度および効率を飛躍的に向上するための付加技術であり、従来では困難であった難易度の高い遺伝子改変サービスを提供することができます。遺伝子改変細胞は創薬スクリーニングなど製薬企業で幅広いニーズがあり、今後これらのサービスを重点的に展開してまいります。

また、株式会社ファンケルと共同でヒトiPS細胞由来の感覚神経細胞の開発に成功し、2018年10月より、新規の受託製造サービスとして開始いたしました。

さらに、2018年4月にBioserve Biotechnologies India Pvt. Ltd.を買収したことで、次世代

が米国食品医薬品局（FDA）より承認されており、米国でも今後治験が進められます。

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、日常の生活が不自由となってしまう原因不明の希少疾患です。ステムカイマルによる同疾患による症状の進行抑制効果が期待されています。

当社では、病気と闘っている患者様へ少しでも早く新しい治療法が届けられるよう、本プロジェクトを積極的に推進してまいります。

(b) iPS 神経グリア細胞製品

iPS 細胞から神経グリア細胞を作製し、中枢神経系疾患に対する iPS 細胞再生医療製品として開発を行っております。本プロジェクトを加速させるため、2018 年 4 月に、米国 Q Therapeutics Inc.（キューセラピューティクス、以下、Q セラ社）との間で合弁会社「株式会社 MAGiQ セラピューティクス」を設立いたしました。Q セラ社は中枢神経系の再生医療に特化したベンチャー企業であり、Q セラの創業者である Mahendra Rao 博士はアメリカ国立衛生研究所(NIH)再生医療センターの初代ディレクターも務めた、神経幹細胞の世界的に著名な研究者です。合弁会社では、当社の iPS 細胞技術と Q セラ社の中枢神経系の技術を組み合わせることで、iPS 細胞由来神経グリア細胞の開発を加速してまいります。

さらに、本プロジェクトの研究開発を加速させるため、2018 年 12 月、湘南ヘルスイノベーションパークに入居し、湘南研究所を開設いたしました。本研究所では主に前臨床試験を実施する予定です。

また、メディカル事業では、これらの再生医療に加え、臓器移植に関連した臨床検査の受託サービスも行っております。当社の主力検査項目である臓器移植後の抗 HLA 抗体検査が 2018 年 4 月 1 日より保険収載となりました。当社の登録衛生検査所は、日本組織適合性学会により「認定組織適合性検査登録施設」へ認定されており、医療機関が当該臨床検査の外部委託を検討する際の、重要な要素をクリアしております。これにより、前事業年度は、検査依頼数、売上とも大幅に増加いたしました。

3 今後の見通し並びにその前提条件

2020 年 3 月期の業績につきましては、売上高 1,434 百万円（前期比 31.8%増）、営業損失 756 百万円（前期は 781 百万円の損失）、経常損失 687 百万円（前期は 627 百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純損失 687 百万円（前期は 601 百万円の損失）を見込んでおります。

連結経常損失、連結当期純損失の予想額は、為替を一定の水準として推移することとして策定しており、為替損益を業績予想に織り込んでおりません。本業績見通しにおける外国為替レートは、1 米ドル=110 円、1 英ポンド=140 円、1 印ルピー=1.65 円を前提としております。

以下、両事業の今後の見通しと前提条件についてまとめます。

(1) 研究支援事業

前事業年度は、インドの企業 Bioserve Biotechnologies India Pvt. Ltd.の買収によるインド市場への進出、および GenAhead Bio 社への戦略的投資および業務提携等により、地域的にも技術的にも大きく事業拡大を行いました。今後とも、グローバル化の推進と技術基盤の強化の 2 つをより一層推進することで、研究支援事業を拡大してまいります。

(1-a) グローバルでの事業拡大

地域的には、従来の日本、米国、欧州に加えて、新たにインドを含む4拠点とし、それぞれの地域の顧客をカバーできる体制を構築しました。日本市場に加え、バイオ業界における最大の市場である米国、それに続く欧州、さらに世界人口第2位を誇るインドの4拠点をカバーすることで、ターゲット顧客である世界中の多くの大学/公的研究機関および製薬企業等の研究所にアクセスが可能になりました。引き続き、各地域において営業活動を強化してまいります。

(1-b) 技術基盤の強化と競争優位性の確保

技術的には、新たに次世代シーケンス技術を使った遺伝子解析サービスおよびCRISPR/Cas9技術を使った遺伝子改変サービスを開始いたしました。これらの新たなサービスは、日本だけでなく、グローバルに展開してまいります。これら2つの新たなサービス・技術は、当社が従前から保有する技術と優れた補完関係にあり、より技術優位性の高い「ヒト細胞ビジネスプラットフォーム」を構築しています。例えば、遺伝子改変技術を用いることで、疾患遺伝子を導入した疾患iPS細胞を作製し、さらに、遺伝子の異常を次世代シーケンスで解析することができます。これら、オールインワンサービスにより、付加価値の高いサービスを顧客に提供してまいります。また、コアテクノロジーであるiPS細胞に関しては、日本、米国、欧州の3拠点到ラボを開設し技術共有を行い、各地で同等のサービスを提供できるようになりました。これにより、各拠点の顧客と密な関係を構築してまいります。

さらに、2019年4月に、REPROCELL USAで品質管理の国際基準の1つである国際標準化機構ISO9001:2015の認証を取得いたしました。今後、本規格に基づき、高品質な製品・サービスを提供してまいります。

以上、技術優位性の高いサービスおよび製品を日本、米国、欧州、インドの4拠点で同時に提供し、受注を拡大してまいります。

(2) メディカル事業

メディカル事業では、当社の技術的優位性の高いiPS細胞を用いたiPS神経グリア細胞、および、既に台湾で治験が進んでいる体性幹細胞のステムカイマルの2つの再生医療製品の臨床開発を実施し早期の承認取得を目指します。さらに、臨床応用可能なiPS細胞のバンキング事業など、プラットフォームビジネスも展開してまいります。

(2-a) 再生医療製品の開発加速と早期承認

ステムカイマルに関しては、2018年7月に、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)に提出した、脊髄小脳変性症を対象とした日本における治験計画届について、所定の審査が終了いたしました。これにより、日本においてステムカイマルの第II相臨床試験の実施が可能となりました。今後、早期に治験を開始し、日本の制度を活用した早期の承認取得を目指します。

一方、iPS神経グリア細胞に関しては、前臨床試験の段階ではありますが、Qセラ社が保有する神経幹細胞のデータおよび知見を活用することで開発を加速し、早期の臨床試験の開始を目指します。Qセラ社は、神経幹細胞を用いて、横断性脊髄炎および筋萎縮性側索硬化症(ALS)を対象として、すでに、米国において米国食品医薬品局(FDA)より治験申請(IND)の承認を得ております。これらの知見をiPS神経グリア細胞に適用することで、日本で、早期の臨床試験の開始を目指します。

2019年4月に、神奈川県が川崎市殿町地区に設置したライフイノベーションセンター(LIC)内に再生医療用の細胞加工を行う「殿町・リプロセル再生医療センター」を新たに開設いたしました。今後、同センターで、前臨床試験及び臨床試験に用いるiPS神経グリア細胞の開発製

造を行ってまいります。

iPS 神経グリア細胞に関して、当初は、横断性脊髄炎および筋萎縮性側索硬化症（ALS）を対象疾患としてスタートしますが、その後、脊髄損傷、多発性硬化症、パーキンソン病など、より市場規模の大きな中枢神経系疾患への適用拡大を目指します。

(2-b) 再生医療事業の国際展開

再生医療に関する規制は、各国で異なっており、国際展開する際のハードルの1つとなっています。当社では、日本、米国、英国に iPS 細胞用のラボを保有しており、それぞれの地域の規制に対応した再生医療製品の開発が可能となっています。iPS 神経グリア細胞は、まずは、日本において、臨床試験を進める予定ですが、今後米国や欧州への展開も検討してまいります。

また、iPS 神経グリア細胞の出発原料となる iPS 細胞に関しても、医療機関および再生医療企業にライセンスする臨床用細胞をバンキングするビジネスを計画しております。iPS 細胞は、既に加齢黄斑変性、パーキンソン病で臨床研究および臨床試験が進んでおり、今後、臨床応用可能な原料細胞への需要が高まると見込んでおります。

当社の日本、米国、英国のチームが連携することで、日米欧3極に対応した臨床用 iPS 細胞を殿町・リプロセル再生医療センターを拠点に開発してまいります。また、英国でも、2018年7月に、英国ビジネス・エネルギー・産業戦略省下の Technology Strategy Board による補助金 Medicines manufacturing round 2: challenge fund を取得しており、現在、臨床用 iPS 細胞の製造技術の開発を行っております。

今後とも、当社では再生医療を中長期の成長事業として積極的に推進してまいります。

4 今期の業績予想及び今後の業績目標

(1) 売上・損益目標

【連結】

(単位：百万円)

	売上高	営業利益	経常利益	当期純利益
2020年3月期 (予想)	1,434	△756	△687	△687
2021年3月期 (目標)	1,919	△520	△401	△401
2022年3月期 (目標)	2,586	△32	100	100

※外国為替レートは、1米ドル=110円、1英ポンド=140円、1印ルピー=1.65円、を想定しております

(2) 業績予想及び業績目標の前提条件・数値根拠

①売上高

2022年3月期までは、売上の大部分を研究支援事業で見込んでおり、メディカル事業では臨床検査のみを見込んでおります。再生医療製品のSTEMカイマルに関しては2023年3月期に承認申請を行う予定です。

研究支援事業に関しては、iPS細胞受託サービスを事業の柱として推進してまいります。iPS細胞の研究は、大学/公的研究機関による基礎研究から、製薬企業による創薬研究に広がっております。大学等では研究試薬を購入し大学内で研究を行うことが一般的ですが、製薬企業では研究開発の一部をサービスとして外注する傾向にあるため、当社では、

今後、これら iPS 細胞受託サービスを重点的に推進してまいります。

当社では、iPS 細胞の上流から下流まで必要とされる全ての技術を保有しており、オールインワンサービスとして展開することで、競争優位性の高いサービスを提供してまいります。

iPS 細胞では、(1) 血液や皮膚などのドナー細胞の調達、(2) iPS 細胞を作製するリプログラミング、(3) 神経、心筋などへの分化誘導、(4) 遺伝子改変、(5) 薬効評価など、様々な技術要素が必要とされます。当社では、(1) から (5) までの全ての技術を保有しており（遺伝子改変については GenAhead 社との協業）、これらを組み合わせることで付加価値の高いサービスを提供してまいります。

地域としては、市場規模の大きい米国、欧州、日本の優先順位で営業活動を推進してまいります。

臨床検査においては、2018 年 4 月より、臓器移植後の検査として抗 HLA 抗体検査が新たに保険収載されたため、今後とも売上の増加を見込んでおります。

さらに、現在の技術プラットフォームを活かした新規ビジネスについても積極的に取り組んでまいります。

iPS 細胞に関しては、日本・米国・欧州の 3 極の規制に対応した臨床用 iPS 細胞を開発して、それを広く医療機関および再生医療企業にライセンスする新規ビジネスを予定しています。最先端の「RNA リプログラミング技術」を用いて、従来課題と言われていた、遺伝子変異やウイルス残存のリスクを大幅に低減する臨床用 iPS 細胞を開発してまいります。

②営業利益

(i) 研究開発費

研究開発費は、研究支援事業とメディカル事業に分けられます。前者は継続的に競争優位性を確保し新製品・サービスを開発するための投資、後者はステムカイマルおよび iPS 神経グリア細胞に係わる前臨床・臨床開発への投資となります。

【研究開発費】 (単位：百万円)

	金額
2020 年 3 月期 (予想)	504
2021 年 3 月期 (目標)	568
2022 年 3 月期 (目標)	505

a. 研究支援事業における研究開発費

今後、事業の柱として成長を見込んでいる iPS 細胞受託サービスに係わる研究開発に重点的に投資を行います。また、研究支援事業で開発した最先端の技術をメディカル事業の再生医療に応用することも目的としています。

研究開発費は重要な投資ではありますが、その投資額は研究支援事業の売上高および収益状況を勘案して適切な水準を保ってまいります。

また、これまでと同様、国の補助金を有効活用し研究開発を行っていく予定です。現在、公的助成金を受けているものは、国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED) の「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業 (再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発)」および、スコットランド開発公社による補助金 (RSA グラント) となっております。

b. メディカル事業における研究開発費

再生医療製品ステムカイマルの日本における第 II 相臨床試験の治験費用を見込んでおります。ステムカイマルはステミネント社で製造されるため、当社では製造に係わる投資は必要としません。また、ステムカイマルは希少疾病用再生医療等製品として指定されているため、開発に係る経費の助成金（最大 50%）および優遇税制措置を有効活用してまいります。

iPS 神経グリア細胞に関しては、前臨床/臨床試験のための研究開発費を見込んでおります。臨床試験に用いる iPS 神経グリア細胞の開発製造を「殿町・リプロセル再生医療センター」で行うため、同センターに係わる費用も含んでおります。

上記の再生医療製品に関しては、早期の承認を得ることを目的として積極的な投資を行ってまいります。

(ii) 販売費および一般管理費等 (販売費)

市場規模の大きな日本、米国、欧州の 3 拠点を中心として、引き続き営業力を強化するため、営業人員の採用を進めてまいります。さらに、インドの営業力を強化するための人員も確保してまいります。

国内および海外の主要な学会への出展、ウェブサイトの整備、各種の販売促進キャンペーン等も継続し、認知度のアップとブランド力の強化に努めてまいります。

(一般管理費)

経営管理については、効率の良いオペレーションを行うことで、費用対効果を高めてまいります。また、内部管理体制の強化や適切な開示体制を確保するため、これまでと同様、適切な管理体制を維持し、適時適切な人員の採用、必要なインフラやシステム等の導入をおこなってまいります。

③経常利益

当社グループは、現在売上高の約 6 割を海外での売上が占めており、為替レートの変動による経常利益の変動が想定されます。最近の為替レートの変動を勘案し、為替レートは 1 米ドル = 110 円、1 英ポンド = 140 円、1 印ルピー = 1.65 円を想定して当中期経営計画を作成しております。

また、研究開発に係る公的補助金については、各公的補助金の規定および契約等に基づき各国の会計基準に照らし合わせ、計上すべき時点において収益として計上しております。

以 上