東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2020年3月期第２四半期
決算説明会

2019年12月4日

REPROCELL

目次

1. 2020年3月期第２四半期事業進捗
   - 事業概要と成長戦略
   - 研究支援事業
   - メディカル事業

2. 2020年3月期第２四半期決算概要

© REPROCELL Inc.

2020年3月期第２四半期トピックス

【全体】

- iPS細胞を中核とした幅広い技術プラットフォームを構築
- 技術プラットフォームから新規事業を創出
  - 臨床用iPS細胞、新型出生前遺伝子検査など

【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細胞に関する新たな共同研究を２件開始（東工大、順天堂大学）
- インドで合弁会社Fox Chase Bioserve社を立ち上げ

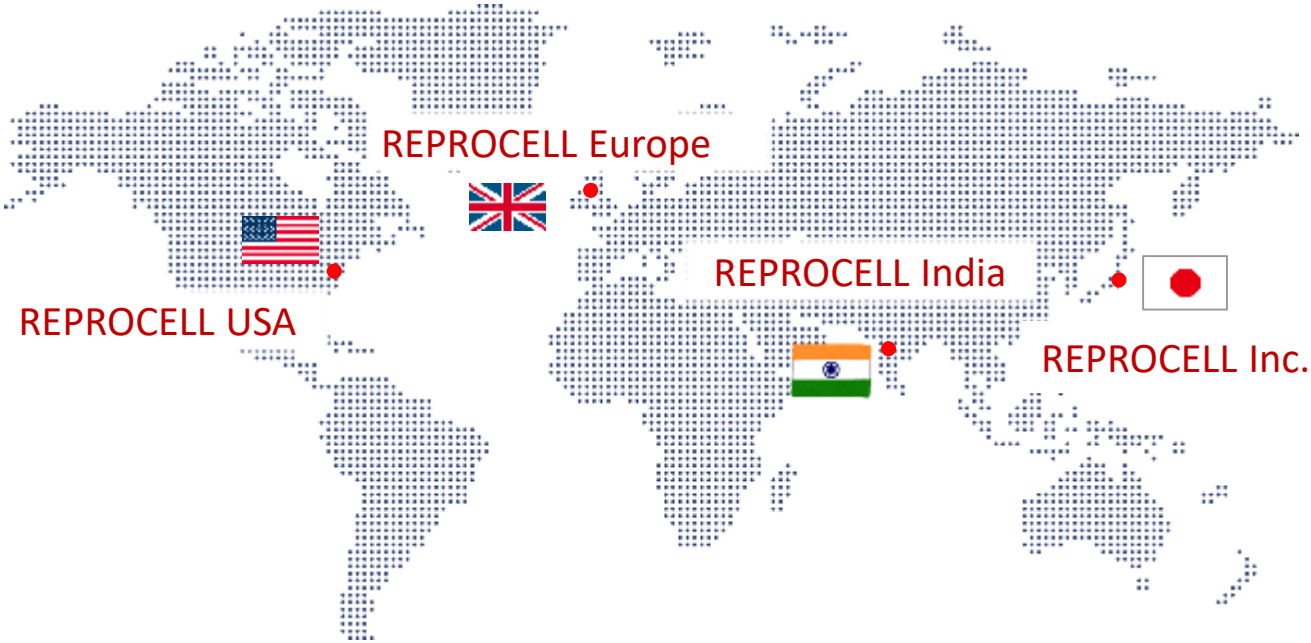
【メディカル事業】

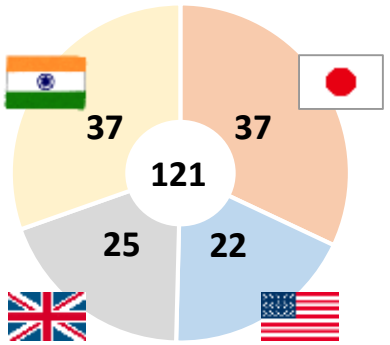
- ステムカイマルの希少疾病用再生医療等製品試験研究助成金の交付が決定
- ステムカイマルの治験に関して国内２病院と治験契約締結
- ALS・横断性脊髄炎の治療を目指したiPS神経グリア細胞の研究開発が進捗
- 殿町・リプロセル再生医療センターを開設

© REPROCELL Inc.

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

© REPROCELL Inc.

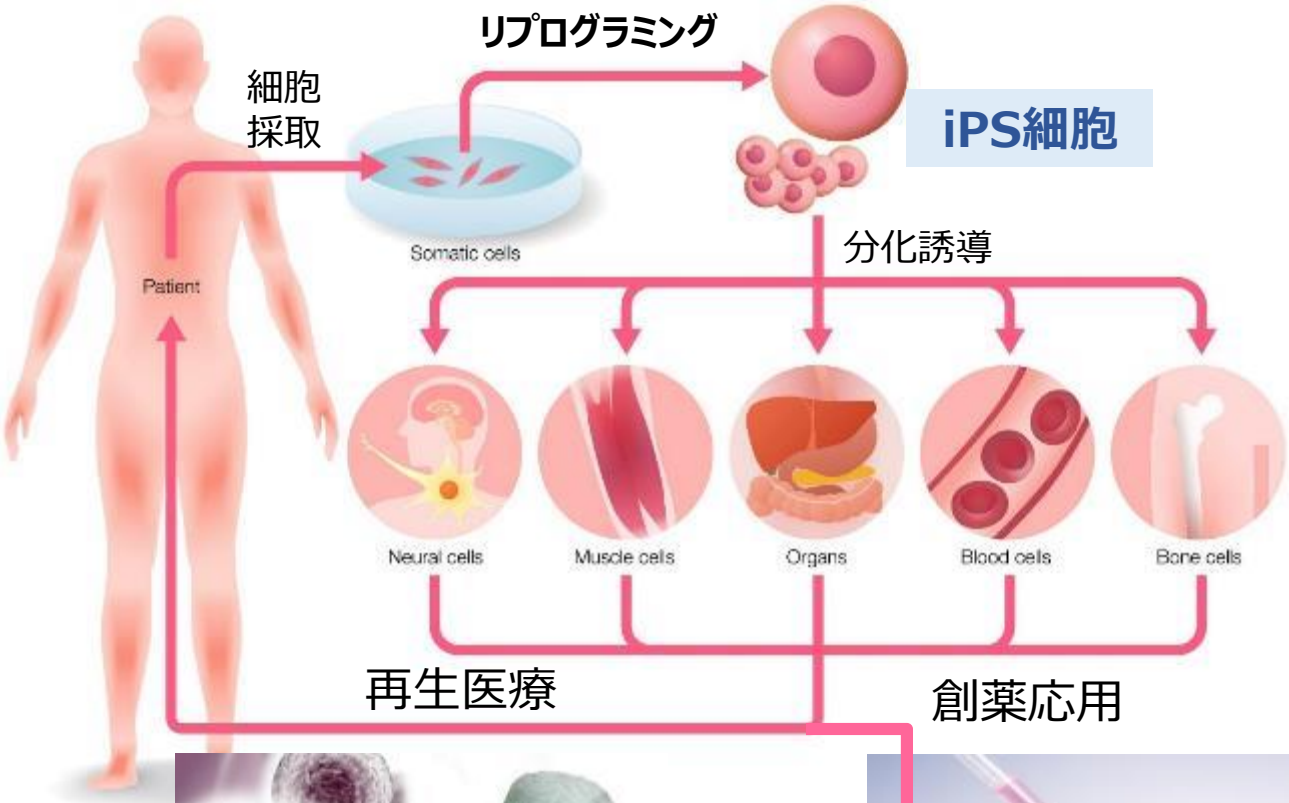
リプロセルの基本成長戦略

- 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
- オープンイノベーションによる技術優位性の確保

© REPROCELL Inc.

iPS細胞について

iPS細胞事業を「研究支援事業」と「メディカル事業」の2つの分野に分けて推進しております



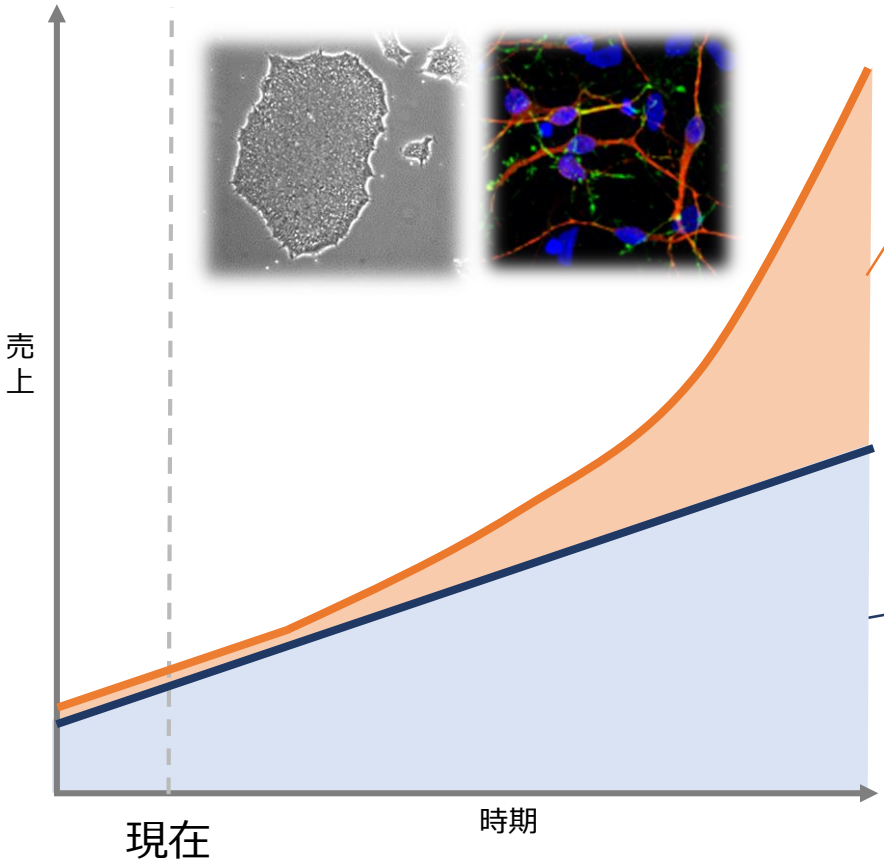
メディカル事業

研究支援事業

© REPROCELL Inc.

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
- 臨床iPS細胞
- 再生医療製品

臨床検査
- HLA検査
- 新型出生前検査

研究支援事業

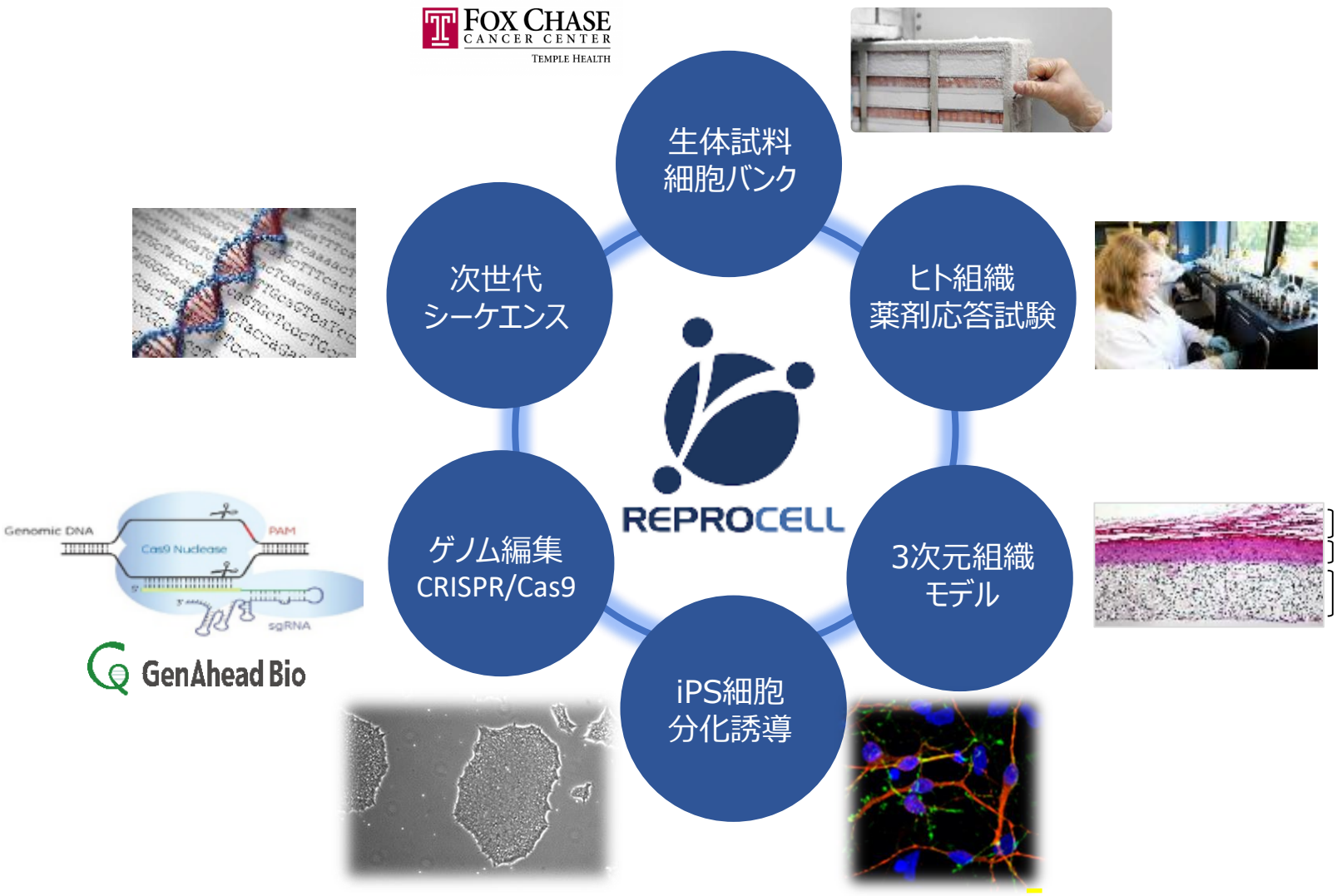
研究試薬
- iPS細胞培養液
- 研究試薬
- プレート

創薬支援
- ヒトiPS細胞
- ヒト細胞
- 受託サービス

© REPROCELL Inc.

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



© REPROCELL Inc.

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

© REPROCELL Inc.

目次

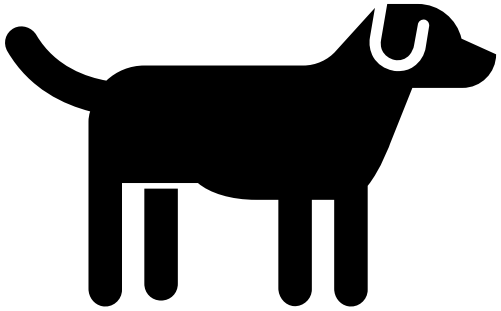
1. 2020年3月期第２四半期事業進捗
   - 事業概要と成長戦略
   - 研究支援事業
   - メディカル事業
2. 2020年3月期第２四半期決算概要

© REPROCELL Inc.

動物実験からヒト細胞を使った実験へ

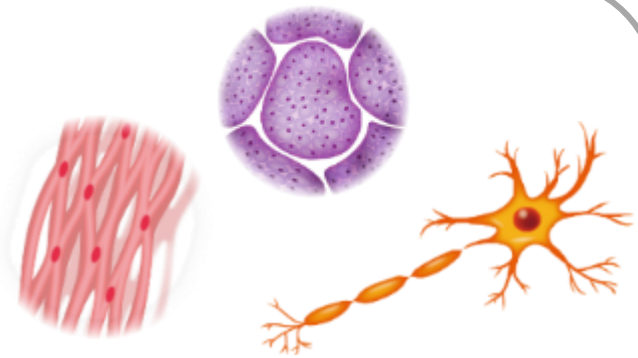
高コストな動物実験から、ヒト細胞を活用したより高精度な実験へと置き換えが進んでいます
リプロセルではヒトiPS細胞の製品/サービスを中心に展開しております

動物実験



倫理　動物　高コスト

ヒト細胞を使った実験



ヒト　低コスト

REPROCELL
豊富な製品・サービス

© REPROCELL Inc.

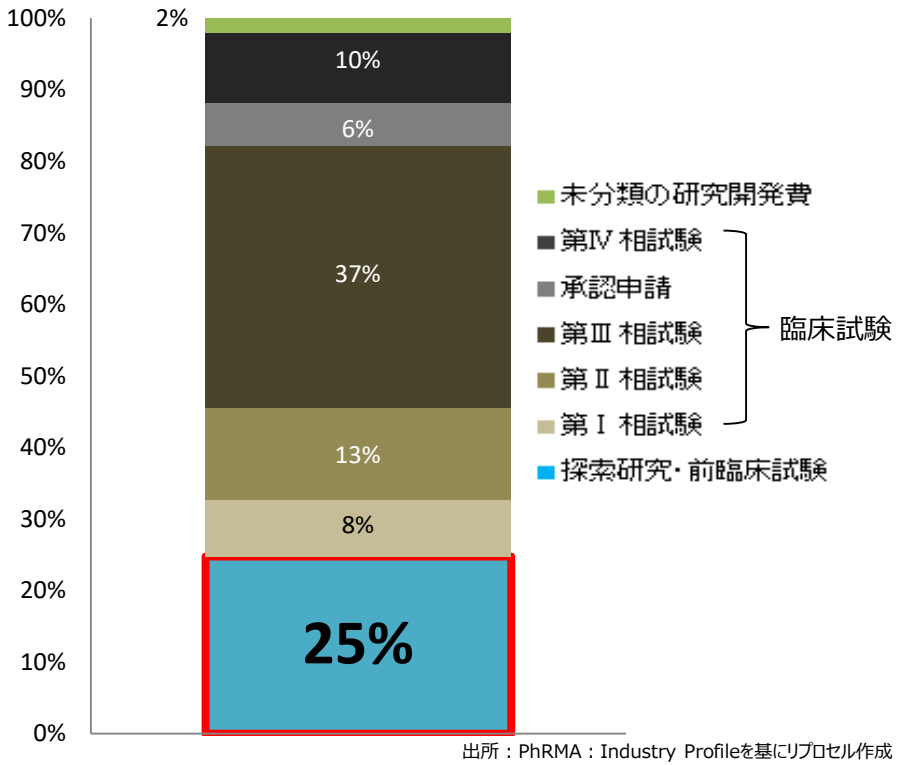
研究支援事業の市場規模

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	ノボノルディスク	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
エーザイ	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

© REPROCELL Inc.

研究支援事業における成長戦略

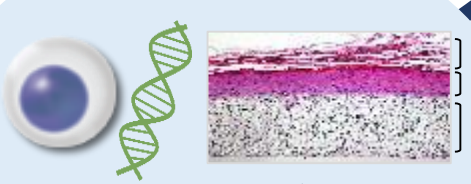
約2.2兆円

市場の拡大

③ グローバル市場へ

グローバルへの拡大
→日・米・欧
→インド・中国

② 最先端の細胞技術



iPS疾患モデル細胞
ゲノム編集(CRISPR/Cas9)
3次元組織モデル

① ヒト細胞の基盤技術

ヒト細胞バンク（新規インド）
ヒト細胞薬効試験（新規USAラボ）
ゲノム解析センター（インド）

差別化戦略

© REPROCELL Inc.

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

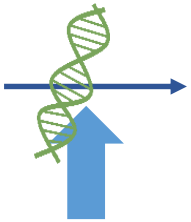
患者由来

患者由来型

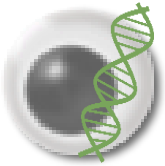
分化誘導

製薬企業

健常者iPS細胞



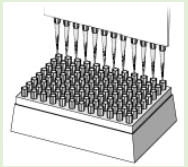
ゲノム編集
（CRISPR−SNIPER）



ゲノム編集型

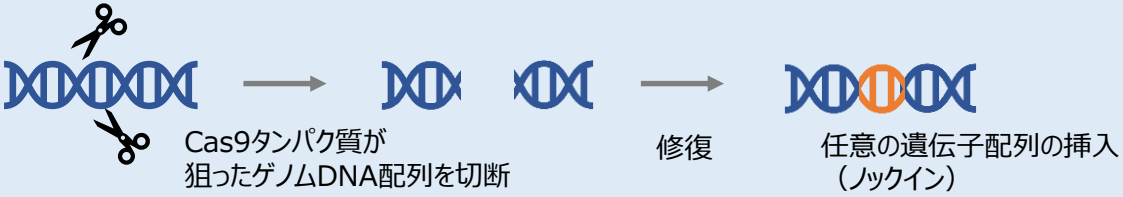
分化誘導

疾患モデル細胞



創薬スクリーニング

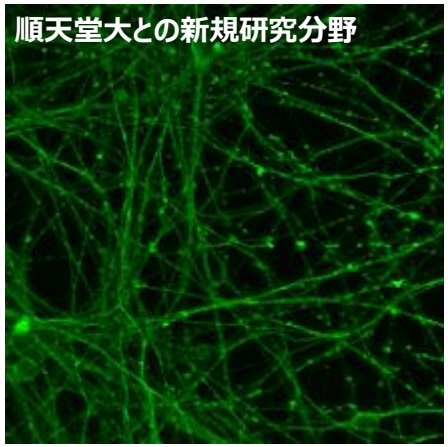
GenAhead Bio



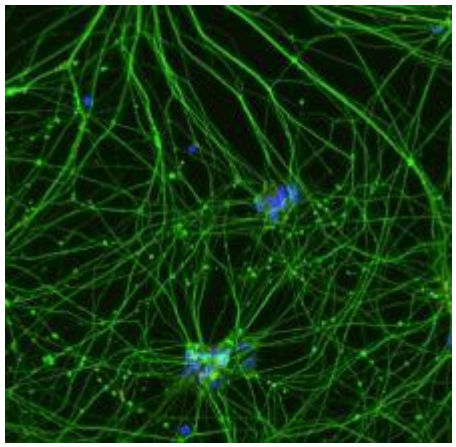
© REPROCELL Inc.

iPS細胞由来の分化細胞

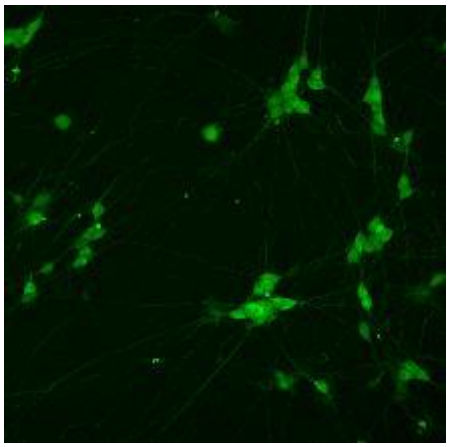
リプロセルでは、iPS細胞から様々な細胞を作製する技術を保有しております
今年度、東工大、および順天堂大と新たに共同研究を開始しました



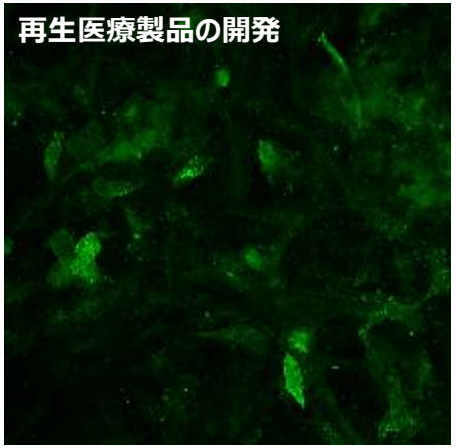
中枢神経細胞



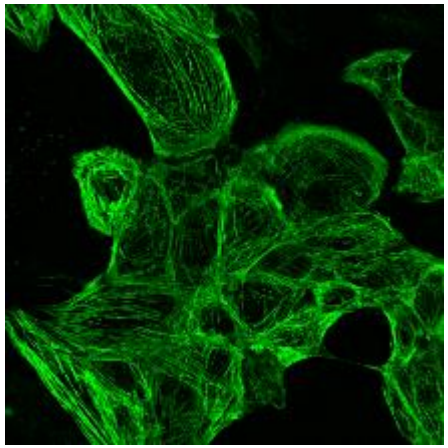
運動神経細胞



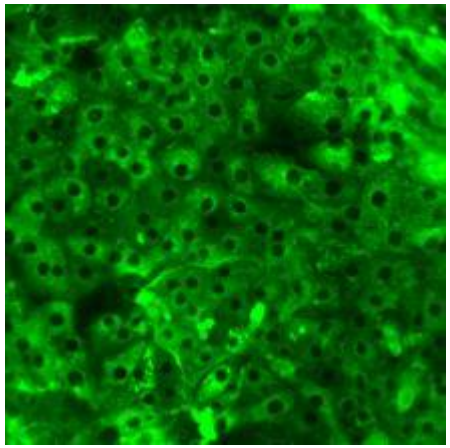
感覚神経細胞



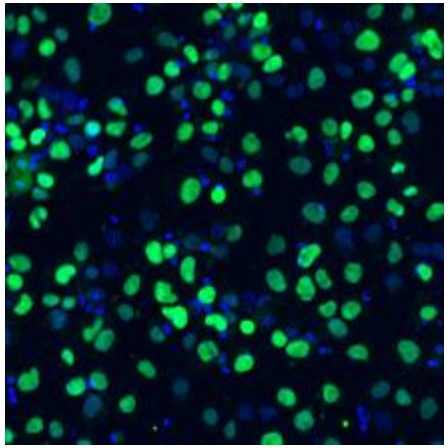
神経グリア細胞



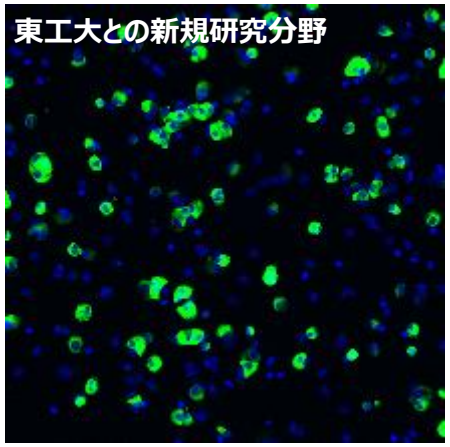
心筋細胞



肝細胞



小腸細胞



膵臓細胞

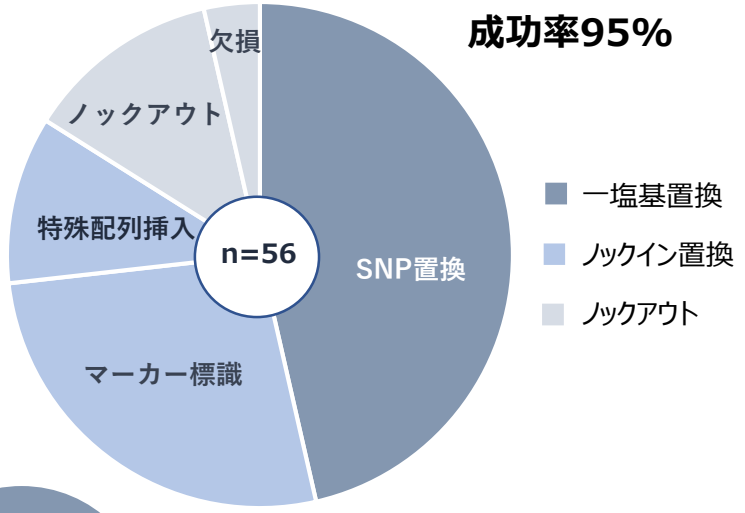
© REPROCELL Inc.

遺伝子改変サービス

■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-SNIPERの実績



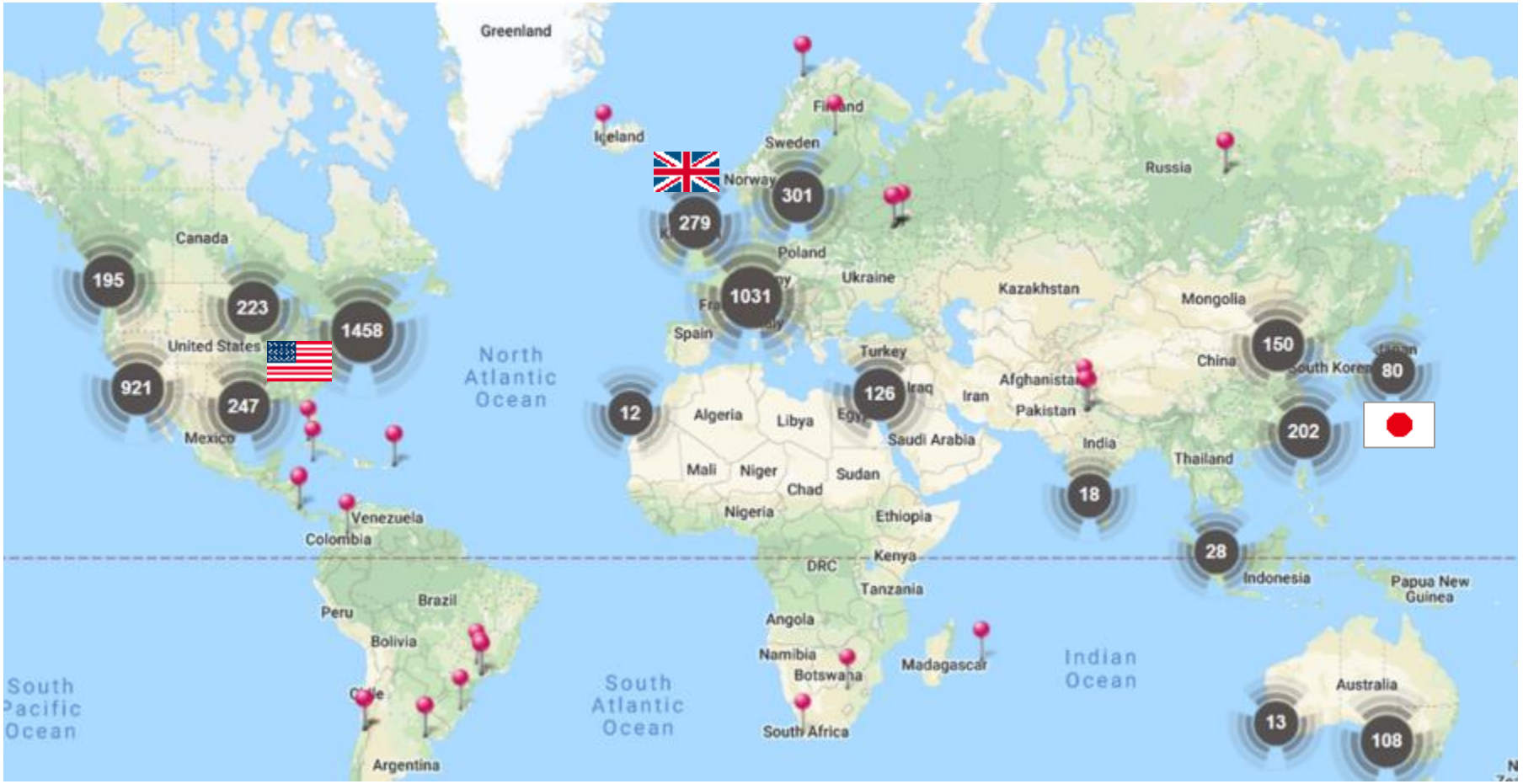
CRISPR/Cas9 ＋ GenAhead Bio SNIPER ＋ REPROCELL iPS細胞

- 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

© REPROCELL Inc.

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

© REPROCELL Inc.

Fox Chase Bioserve社の設立

Kamineni病院とFox Chase Cancer Centerとの合弁会社をインド（ハイデラバード）に設立しました
Kamineni病院からヒトの生体試料を採取しバイオバンク事業を立ち上げます

© REPROCELL Inc.

個別化医療への展開

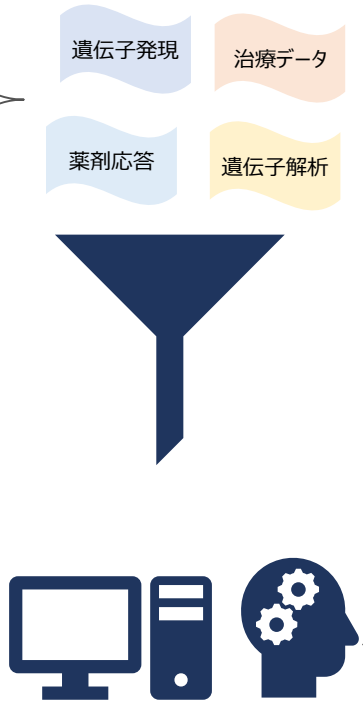
当社の高度な細胞技術プラットフォームにより、個別化医療の開発にも取り組んでいます

探索研究 → 前臨床試験 → 臨床試験 → 治療

病院
ネットワーク

組織
採取

- 組織を用いた薬剤応答試験
- 遺伝子発現解析
- 遺伝子解析
- 治療データ



研究
- 創薬ターゲットの発見
- バイオマーカーの発見

臨床試験
- 最適な患者のセレクション
- 最適なバイオマーカーの選定

治療
- 最適な治療法の選定
- 最適な薬の選定

© REPROCELL Inc.

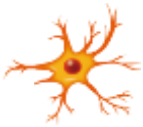
目次

1. 2020年3月期第２四半期事業進捗
   - 事業概要と成長戦略
   - 研究支援事業
   - メディカル事業
2. 2020年3月期第２四半期決算概要

© REPROCELL Inc.

リプロセルの再生医療製品品目

幹細胞を活用した2品目の他家再生医療製品の開発を進めています

名　称	Stemchymal® ステムカイマル® 	iPS神経グリア細胞 
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 STEMINENT BIOTHERAPEUTICS	共同開発 Q THERAPEUTICS
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 • 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
開発ステージ	治験届受理（日本） 2019年内被験者登録予定	前臨床試験

© REPROCELL Inc.

ステムカイマル®の対象疾患

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、日常の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。

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は
約180億円

© REPROCELL Inc.

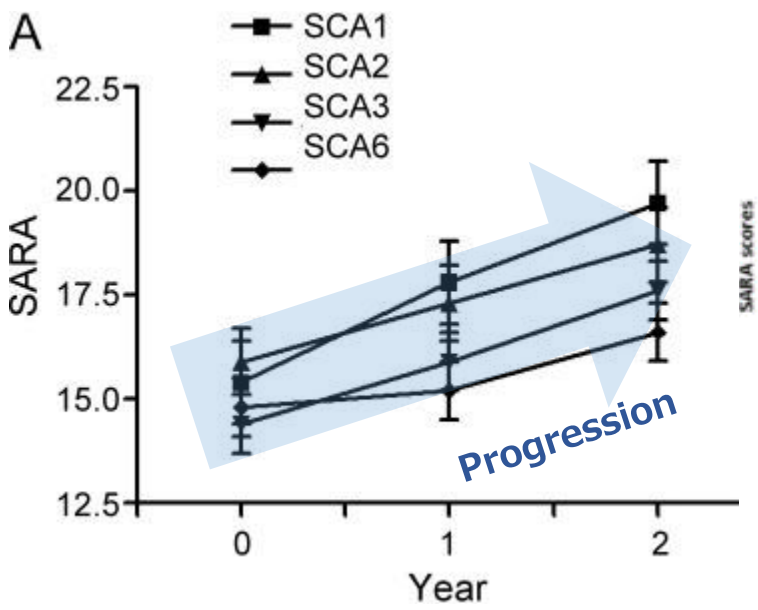
ステムカイマル®の臨床試験（台湾）

現在

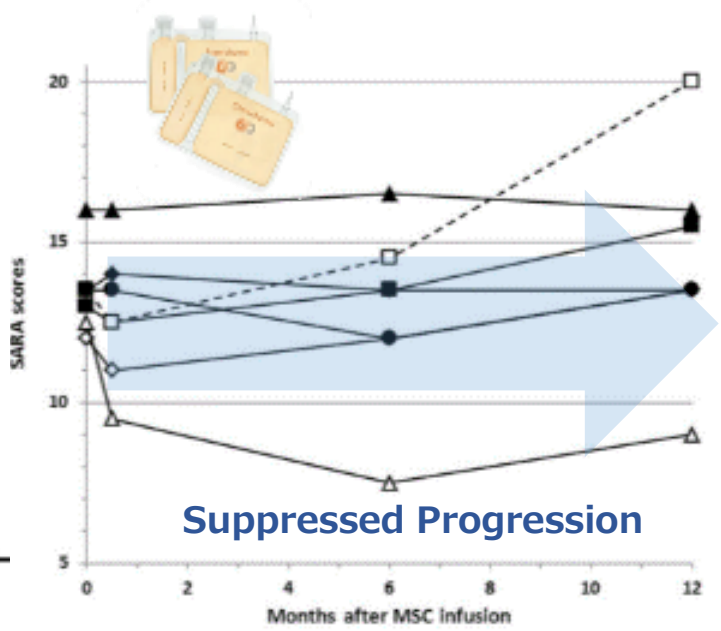
研究 → 前臨床試験 → 臨床試験 (フェーズI/IIa) → 臨床試験 (フェーズII) → 承認申請

臨床試験フェーズ2の全被験者で投与完了
重篤な安全性の問題は見られていない

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

© REPROCELL Inc.

日本での第II相試験の概要

本臨床試験では、科学的に信頼性の最も高いデータを取れるデザインを採用しました

治験概要	
デザイン	多施設共同、プラセボ対照、ランダム化、二重盲検、並行群間比較試験 （治験実施計画書番号：RS-01）
対象疾患	脊髄小脳失調症（SCA3、SCA6）
投与回数	3回（4週に1回）
評価項目	主要評価項目：SARAスコア 副次評価項目：SCAFI、INAS、PGI、CGI、Neurofilament Light chain、NSE、他
目標症例数	53例 （ステムカイマル群：28例、プラセボ群：25例）
実施医療機関	約10施設

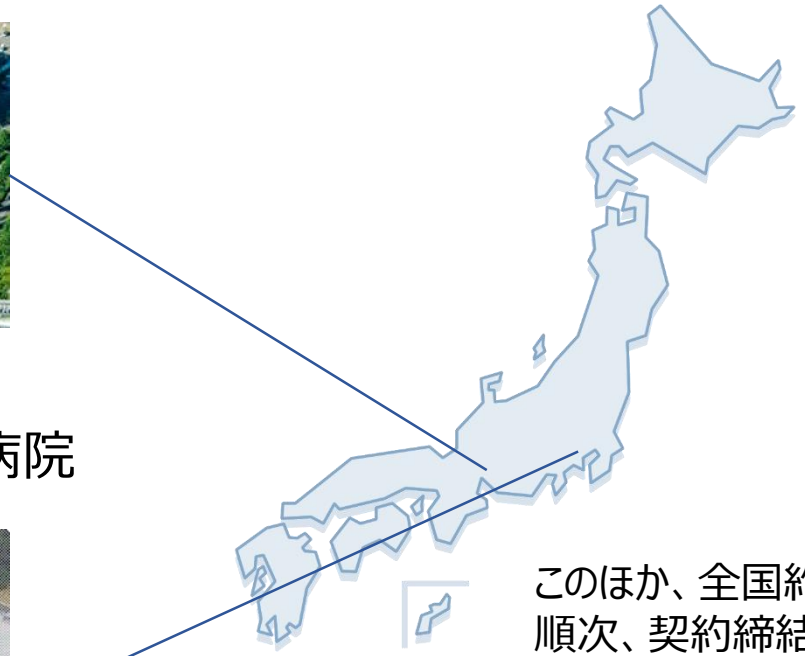
© REPROCELL Inc.

日本での治験準備状況

2018年、ステムカイマルの第II相臨床試験の治験計画届が受理されました
現在、2019年内の初回被験者登録に向けて準備を進めており、**国内二施設と治験契約を締結済み**です

名古屋大学病院
http://www.nagoya-u.ac.jp/

国立精神・神経医療研究センター病院
https://www.ncnp.go.jp/



このほか、全国約8施設と
順次、契約締結する予定

© REPROCELL Inc.

希少疾病用再生医療等製品の指定

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
米国でも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＊

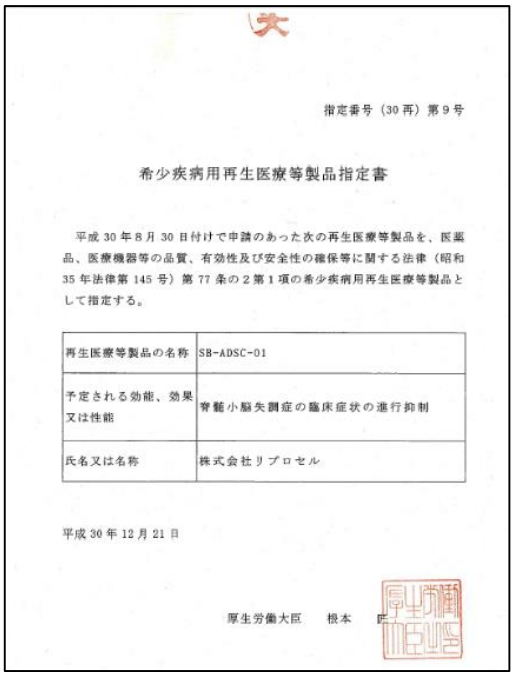
- 対象患者数（本邦において５万人未満）
- 医療上の必要性
- 開発の可能性

主な支援措置

1. 開発経費に対する助成金の交付

   → **2019年、助成金の交付が開始されました**

2. 優先審査
3. 税制措置



指定番号（30再）第９号

希少疾病用再生医療等製品指定書

平成30年８月30日付けで申請のあった次の再生医療等製品を、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（昭和35年法律第145号）第77条の２第１項の希少疾病用再生医療等製品として指定する。

再生医療等製品の名称	SB-ADSC-01
予定される効能、効果又は性能	脊髄小脳失調症の臨床症状の進行抑制
氏名又は名称	株式会社リプロセル

平成30年12月21日

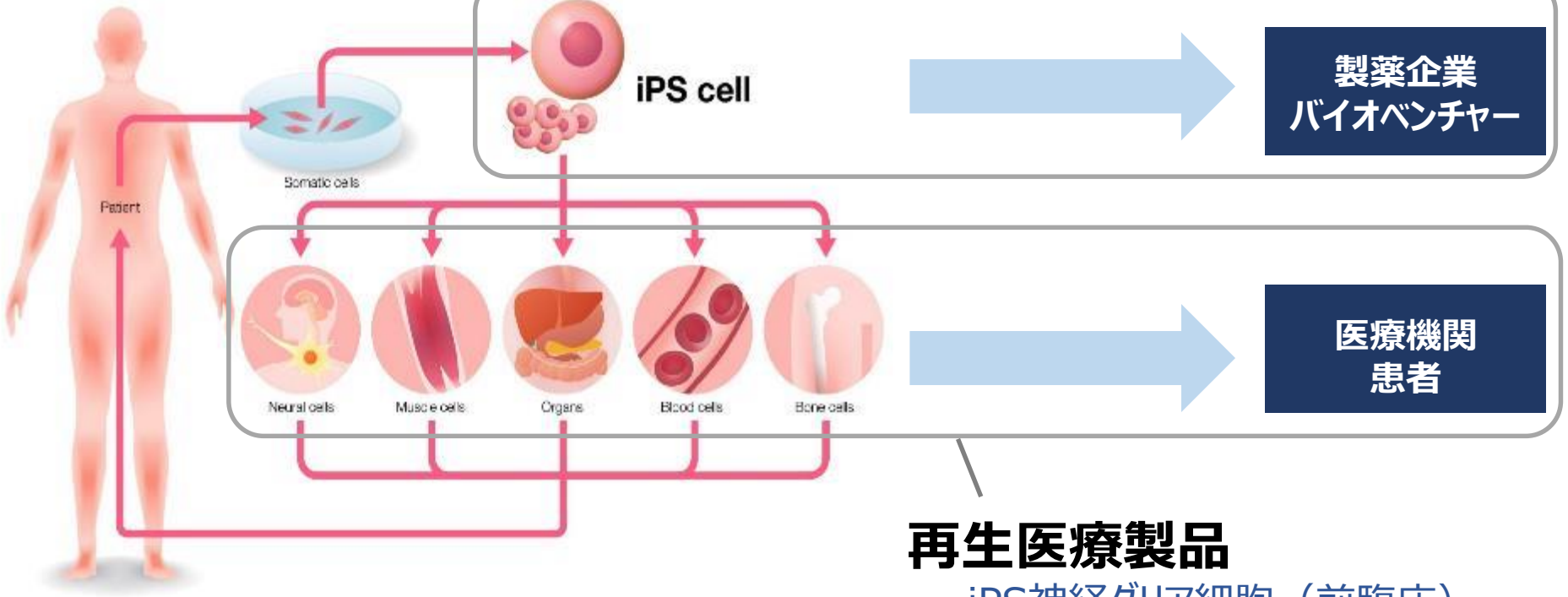
厚生労働大臣　根本　匠

指定書

＊ 医薬品医療機器法第77条の２

© REPROCELL Inc.

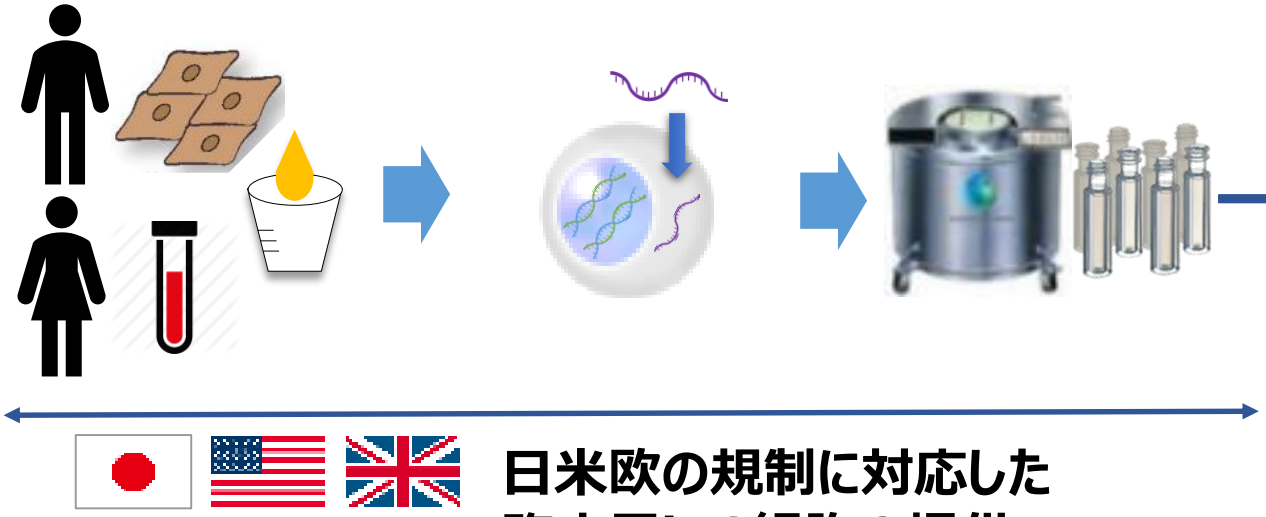
iPS細胞の再生医療



© REPROCELL Inc.

日米欧の規制対応・臨床用iPS細胞

組織採取 → RNAリプログラミング → Master Cell Bank → 商業利用



日米欧の規制に対応した
臨床用iPS細胞の提供

日米欧の製薬企業
バイオベンチャー

© REPROCELL Inc.

臨床用iPS細胞のニーズ

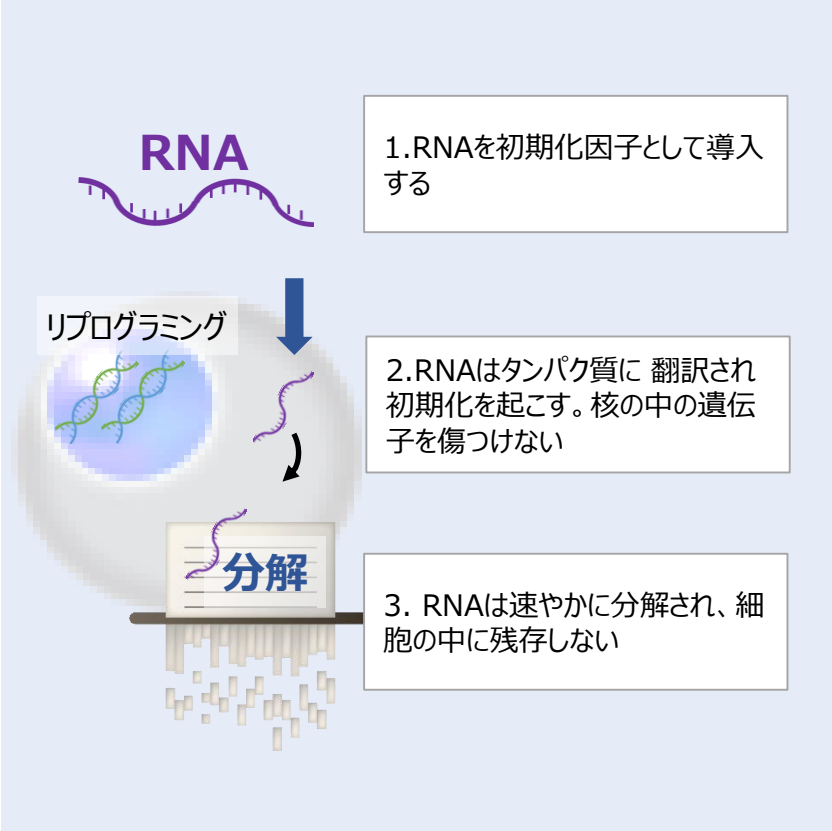
	マーケットニーズ	リプロセルの臨床用iPS細胞
規制対応	「グローバルに展開したいが、現在使用中のiPS細胞株は日本の規制にしか対応していない」	日米欧の当社3拠点が連携し、日米欧の各当局（PMDA/FDA/EMA）の規制に対応
商業利用	「研究開発だけではなく、治験・商業利用でも一貫して同じiPS細胞を利用したい」	商業利用可能なインフォームドコンセントを取得済み
安全性	「リプログラミング因子が細胞内に残留することにより、ガン化が引き起こされるリスクを懸念している」	RNA法の場合、残留する因子がないため、ガン化のリスクが極めて低いiPS細胞が作製できる
品質	「高い分化効率や対象疾患に応じたiPS細胞株が欲しい」	個別ユーザーごとに仕様を最適化し、高品質なiPS細胞株を提供する

© REPROCELL Inc.

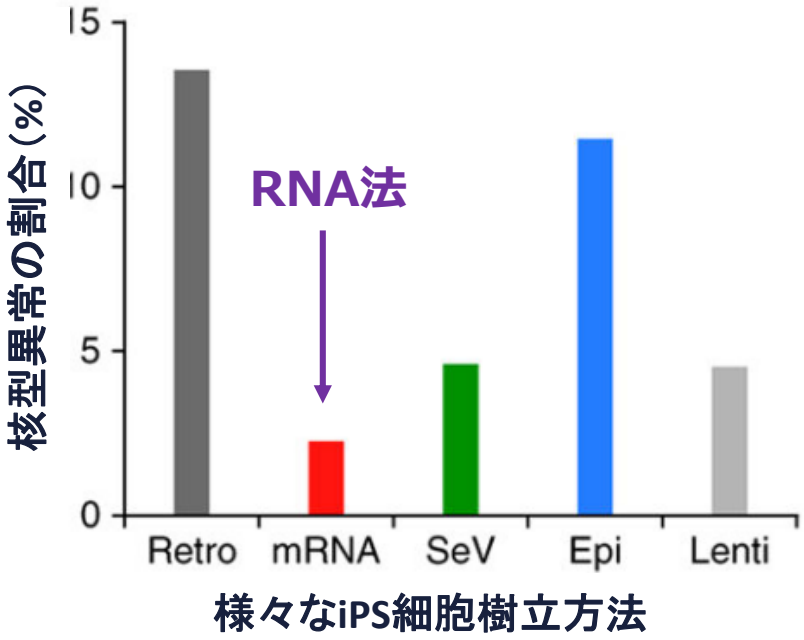
RNAリプログラミング技術の優位点

RNAリプログラミングは、ガン化のリスクを最小化する最先端の技術です

RNAリプログラミング法



ゲノムの高い安定性



Schlaege T, et al.,. Nat Biotechnol. 2015 Jan 33(1): 58–63.

© REPROCELL Inc.

再生医療製品：iPS細胞神経グリア細胞

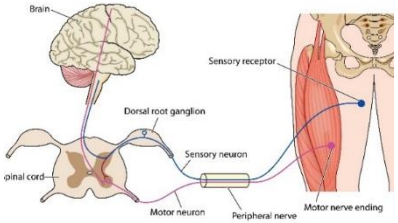
筋萎縮性側索硬化症(ALS)

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。

故スティーブン ホーキング博士



患者数

米国 **約3万人**

日本 **約1万人**

出所：難病情報センター、NIH Webサイトを参考に当社作成

横断性脊髄炎(TM)

脊髄の一部分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。

患者数

米国 **約4.4万人**

日本 **約1.5万人**

出所：クリストファー・アンド・デイナ・リーブ財団麻痺障害リソース・センターWebサイト、
Q therapeutics社webサイトを参考に当社作成

© REPROCELL Inc.

再生医療製品：iPS細胞神経グリア細胞

米国Qセラ社の前臨床・治験届承認までの技術を応用し、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を進めております（前臨床段階）

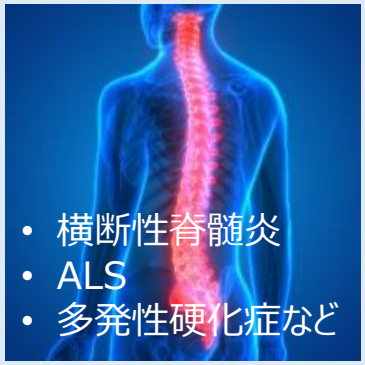
REPROCELL

iPS神経グリア細胞

iPS細胞

分化

移植



技術移管（共同研究）

Q THERAPEUTICS

既存製品
Q-Cell®

胎児由来
組織

分離・精製

胎児組織由来
グリア前駆細胞
Q-Cell ®

非臨床試験で様々な中枢神経疾患に対する有効性を示し、筋萎縮性側索硬化症（ALS）および横断性脊髄炎（TM）を対象とした治験計画届(IND)が米国FDAの審査を通過。

© REPROCELL Inc.

Q-Cellの前臨床試験

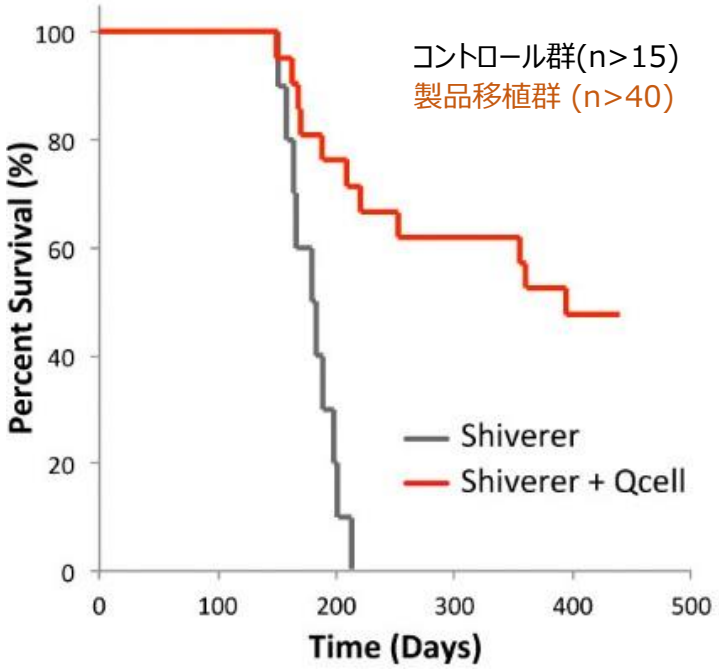
髄鞘欠損モデルマウスの運動機能

非移植マウス
（生後100日）

Q-Cell ®移植マウス
（生後400日）

Source: Q Therapeutics and the Walczak lab - Johns Hopkins

髄鞘欠損モデルマウスの生存率

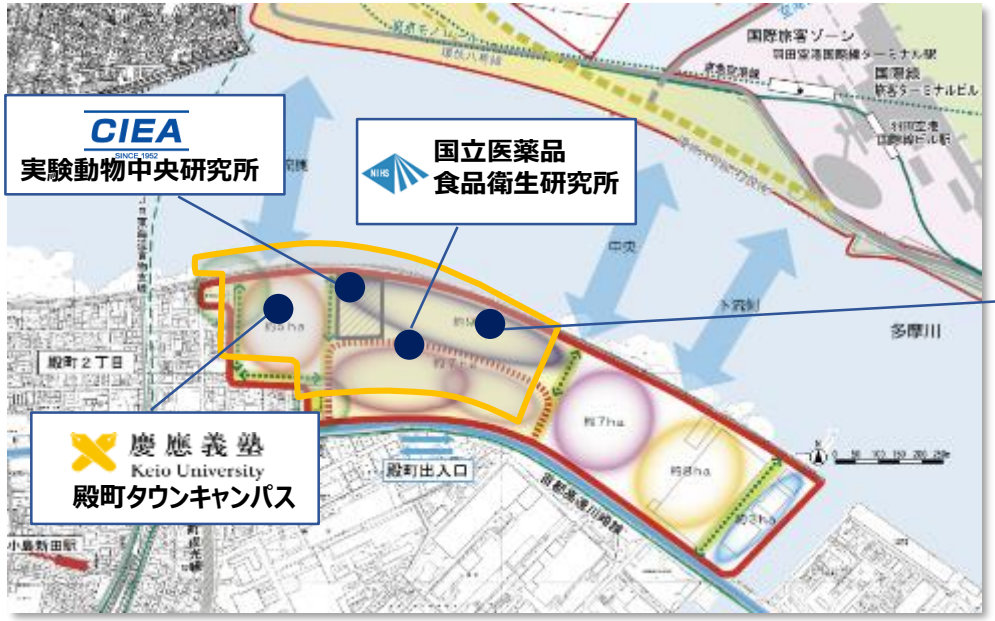


出典：Lyczek et al. *Experimental Neurology* (2017)
Walczak lab - Johns Hopkins

© REPROCELL Inc.

殿町・リプロセル再生医療センター

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
産学・企業間連携を強化し、再生医療の産業化を加速



再生細胞医療産業化拠点
ライフイノベーションセンター（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）

© REPROCELL Inc.

目次

1. 2020年3月期第２四半期事業進捗
   - 事業概要と成長戦略
   - 研究支援事業
   - メディカル事業

2. 2020年3月期第２四半期決算概要

© REPROCELL Inc.

連結損益計算書

(単位：百万円)	2019年3月期 第2四半期実績	2020年3月期 第2四半期実績	主な増減
売上高	538	564	
製品売上高	297	310	
役務収益	241	254	
売上総利益	242	231	
販売費及び一般管理費	647	663	
研究開発費	150	194	＊殿町・リプロセル再生医療センター、湘南研究所費用 ＊ステムカイマル治験費用
その他の販売費 及び一般管理費	496	469	
営業利益又は損失(△)	△ 405	△ 432	
経常利益又は損失(△)	△ 251	△ 434	＊前期に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 ＊為替差損益
当期純利益又は損失(△)	△ 252	△ 436	

© REPROCELL Inc.

連結貸借対照表

(単位：百万円)	2019年3月末 金額	2019年3月末 構成比	2019年9月末 金額	2019年9月末 構成比	増減
流動資産	6,202	82.8%	6,087	87.0%	△ 115
うち、現金及び預金	4,112	54.9%	3,697	52.8%	△ 415
うち、有価証券	1,600	21.4%	1,900	27.1%	300
固定資産	1,287	17.2%	913	13.0%	△ 374
うち、無形固定資産	112	1.5%	105	1.5%	△ 7
うち、投資有価証券	929	12.4%	581	8.3%	△ 348
総資産	**7,489**	100.0%	**7,000**	100.0%	△ 489
流動負債	330	4.4%	310	4.4%	△ 20
固定負債	88	1.2%	89	1.3%	1
純資産	7,071	94.4%	6,600	94.3%	△ 471
負債及び純資産	**7,489**	100.0%	**7,000**	100.0%	△ 489

【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

© REPROCELL Inc.

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は負いません。

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

© REPROCELL Inc.