

東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2020年3月期第4四半期 決算説明会

2020年8月7日



当社の事業は大学/製薬企業の研究所及び医療機関が対象顧客及びパートナーであり、本質的に新型コロナウイルスの影響を受けにくいと考えております

- **研究支援事業**

顧客先である日米欧の大学/製薬企業において一時的に研究活動が制限されたため、2019年度末から2020年度前半にかけて短期的な影響を受けております。一方、各国とも、適切な感染拡大防止策を行いながら活動を再開する動きがあり、今後は回復すると見込んでおります

- **メディカル事業**

これまで、ステムカイマルの治験およびiPS神経グリア細胞の研究開発への影響は出ておりません

新型コロナウイルスのワクチン開発



新型コロナウイルスのワクチン開発を行う国際コンソーシアムに参加しております



メンバー

eTheRNA社（ベルギー）、EpiVax社（米国）、Nexelis社（米国）
アントワープ大学（ベルギー）、リプロセル

本ワクチンの特徴

- RNAワクチン。鼻腔粘膜に噴霧することにより接種
- 新型コロナウイルスが変異した場合にもワクチン効果が維持されるようにデザイン
- 製造コストが安価であり、スケールアップが容易

リプロセルの役割

- RNAワクチンを効率的に細胞内に入れるための要素技術の開発と提供

今後の開発スケジュール

- 2021/22冬期シーズンへの供給に向け2021年初頭に臨床試験に入ることを目指す

1. 2020年3月期第4四半期事業進捗

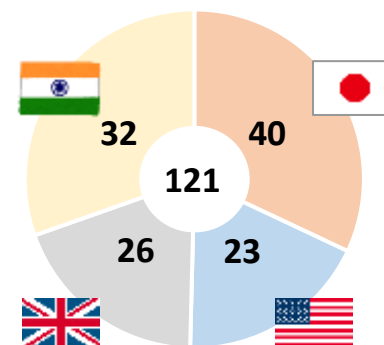
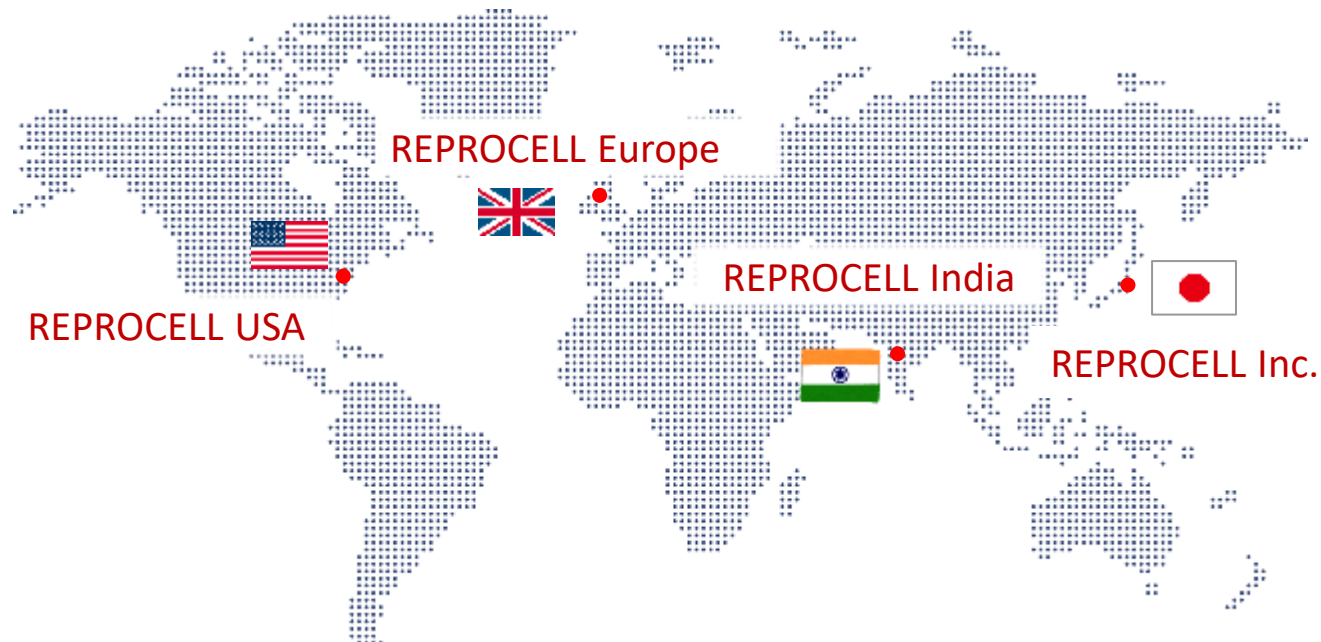
- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

2. 2020年3月期第4四半期決算概要

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
2020年3月末現在



アメリカ



イギリス



インド

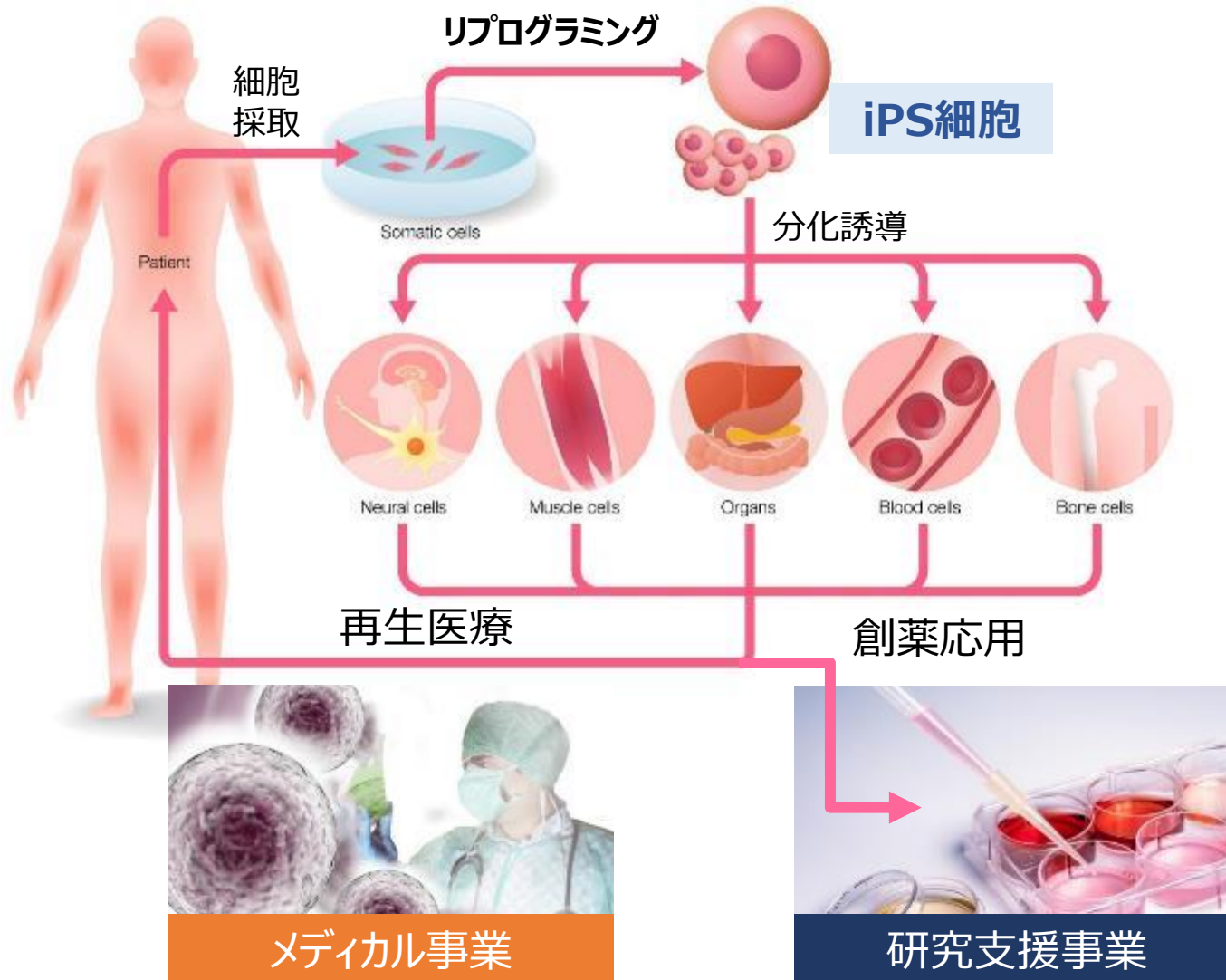


本社

- ▶ 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
- ▶ オープンイノベーションによる技術優位性の確保

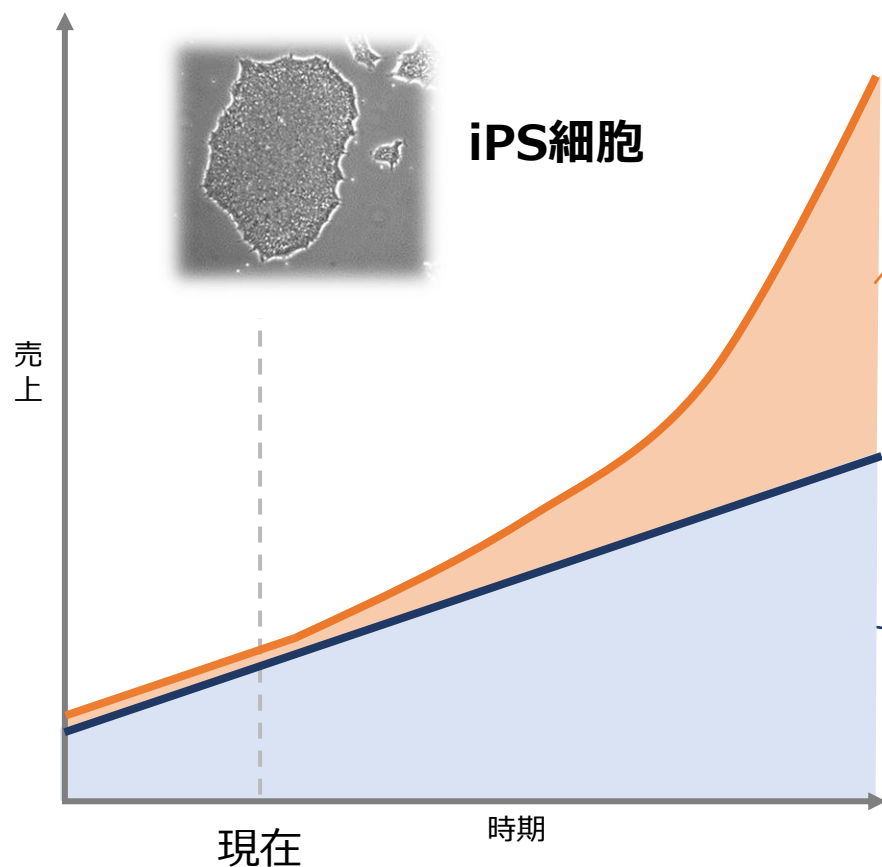
iPS細胞について

iPS細胞事業を「研究支援事業」と「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



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

臨床検査



研究支援事業

研究機器

受託サービス

研究試薬



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

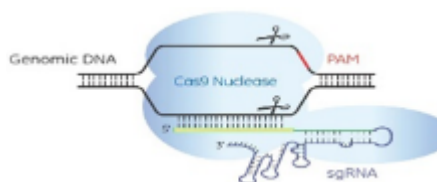
ヒト組織
薬剤応答試験



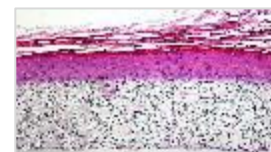
次世代
シーケンス



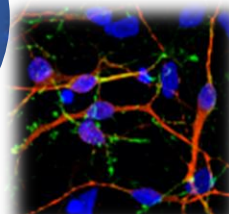
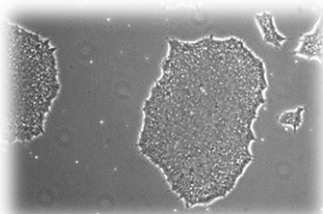
ゲノム編集
CRISPR/Cas9



3次元組織
モデル



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. 2020年3月期第4四半期事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

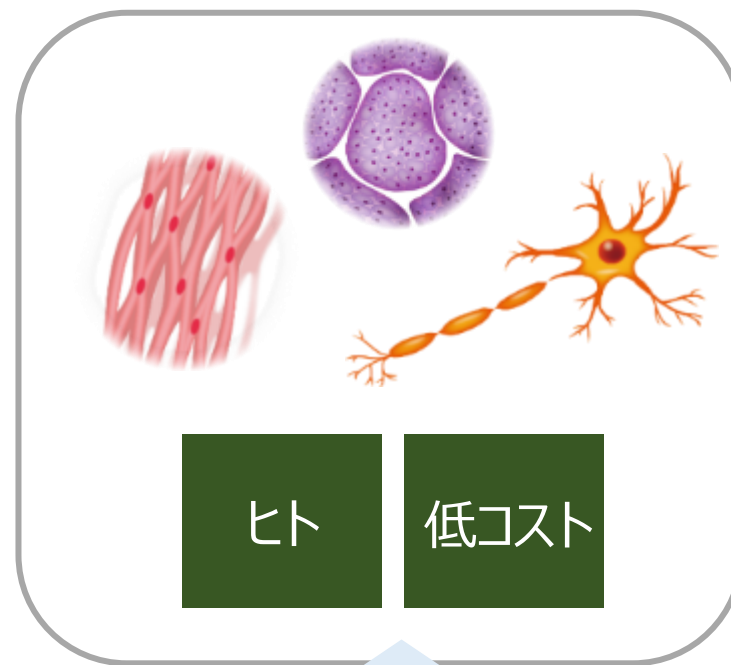
2. 2020年3月期第4四半期決算概要

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
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



豊富な製品・サービス

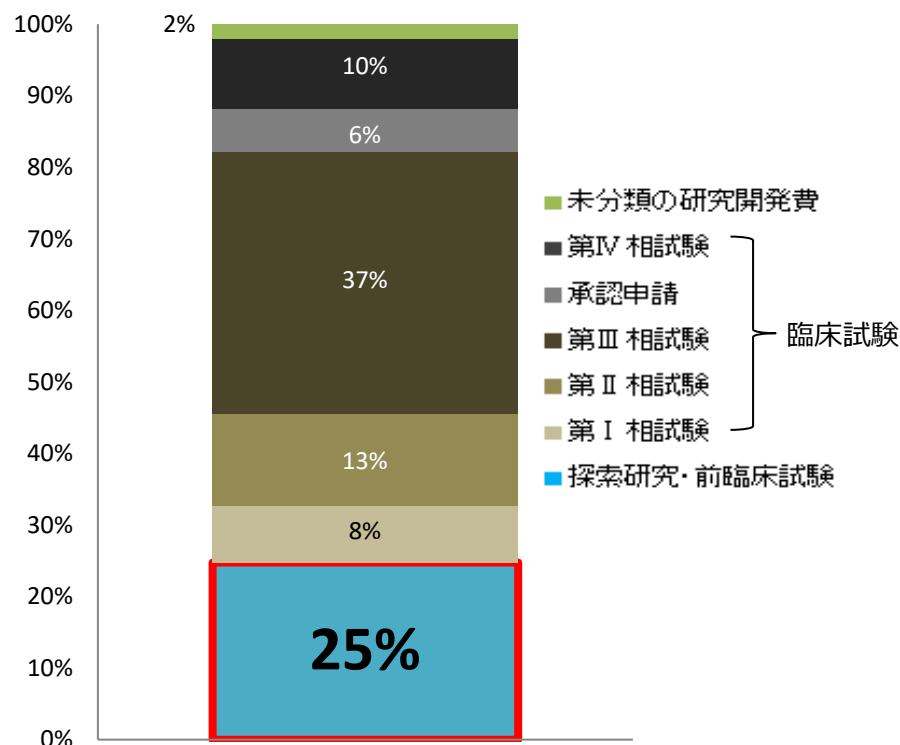
研究支援事業の市場規模

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
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

研究支援事業の概要

大学/製薬企業等を対象顧客として、「研究試薬」、「研究受託サービス」、「研究機器」をトータルに提供しております。

研究試薬



- iPS研究試薬
- iPS細胞
- プレート
- 生体試料

研究受託サービス



- 疾患iPS細胞
- 遺伝子編集
- iPS分化細胞
- 薬効薬理試験
- 遺伝子解析

研究機器



- Axion Biosystems社

iPS細胞の創薬応用：疾患モデル

創薬応用可能な疾患iPS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

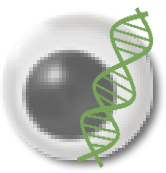
分化誘導



健常者iPS細胞

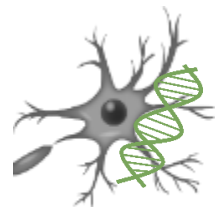


ゲノム編集
(CRISPR-SNIPER)



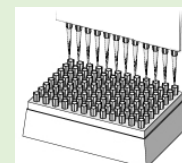
ゲノム編集

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



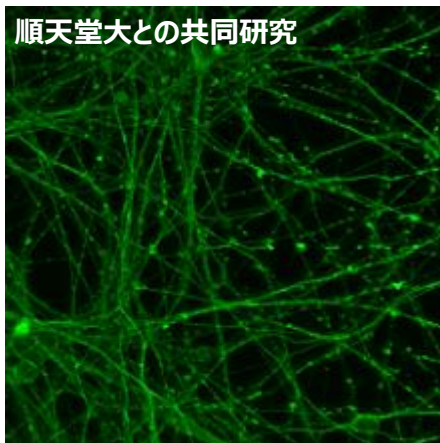
修復



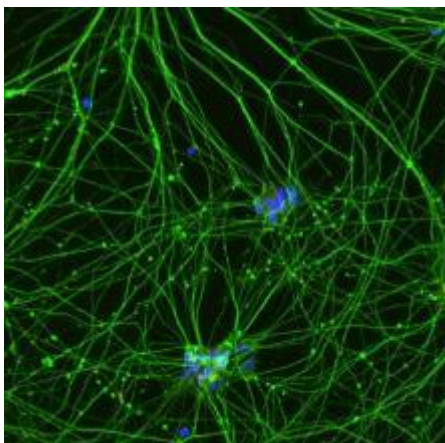
任意の遺伝子配列の挿入
(ノックイン)

iPS細胞の創薬応用：分化細胞

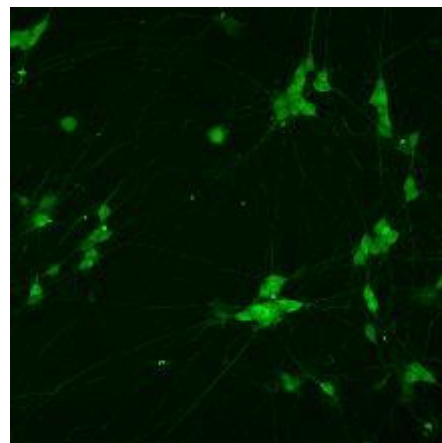
リプロセルでは、iPS細胞から様々な細胞を作製する技術を保有しており、多様な顧客ニーズに対応しております。



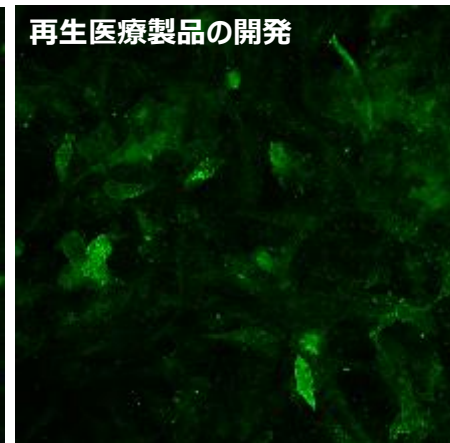
中枢神経細胞



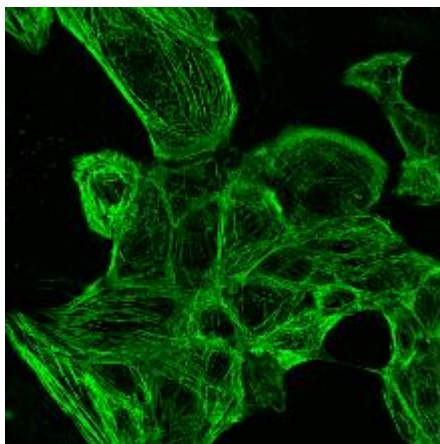
運動神経細胞



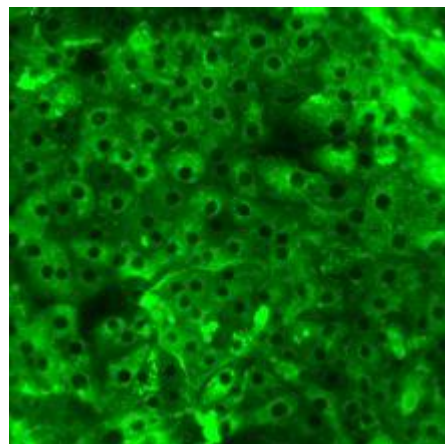
感覚神経細胞



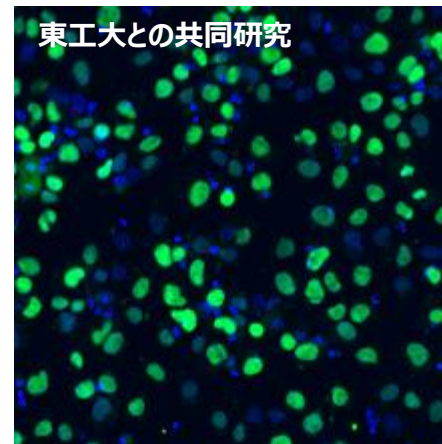
神経グリア細胞



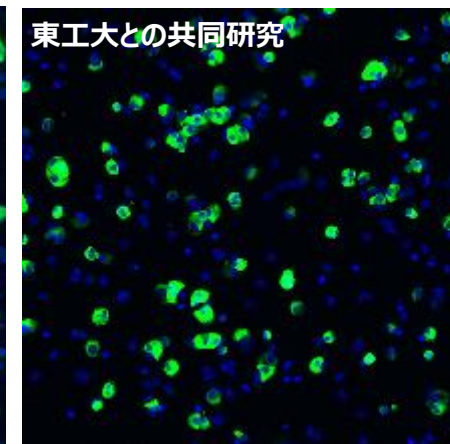
心筋細胞



肝細胞



小腸細胞



膵臓細胞

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、研究受託サービスを積極的に展開しています



Biotech companies (therapeutics and diagnostics), source Biotechgate

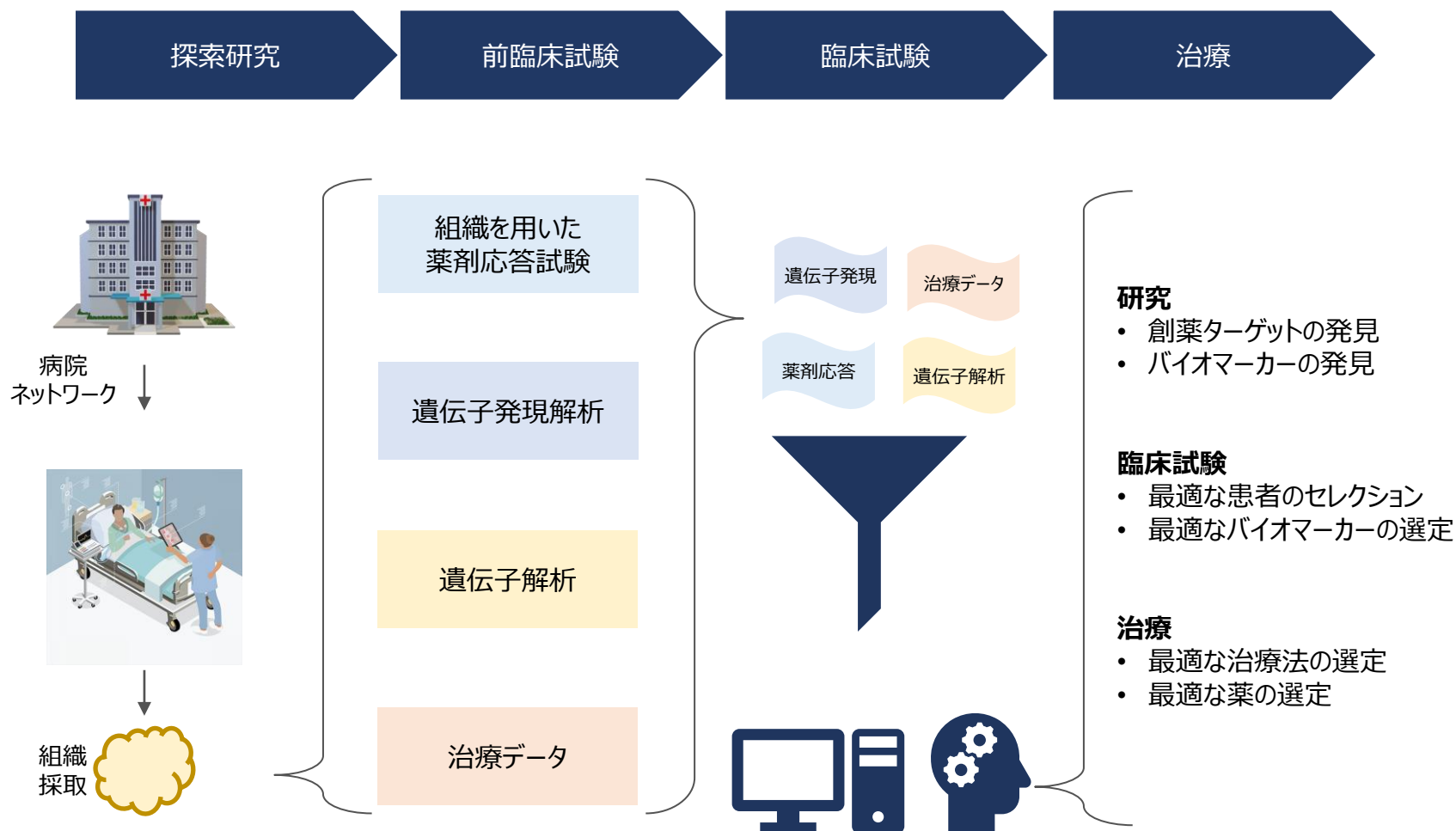
Fox Chase Bioserve社の設立

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を立ち上げています



個別化医療への展開

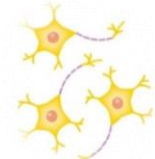
当社の高度な細胞技術プラットフォームを組み合わせ、個別化医療の開発にも取り組んでいます



1. 2020年3月期第4四半期事業進捗

- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

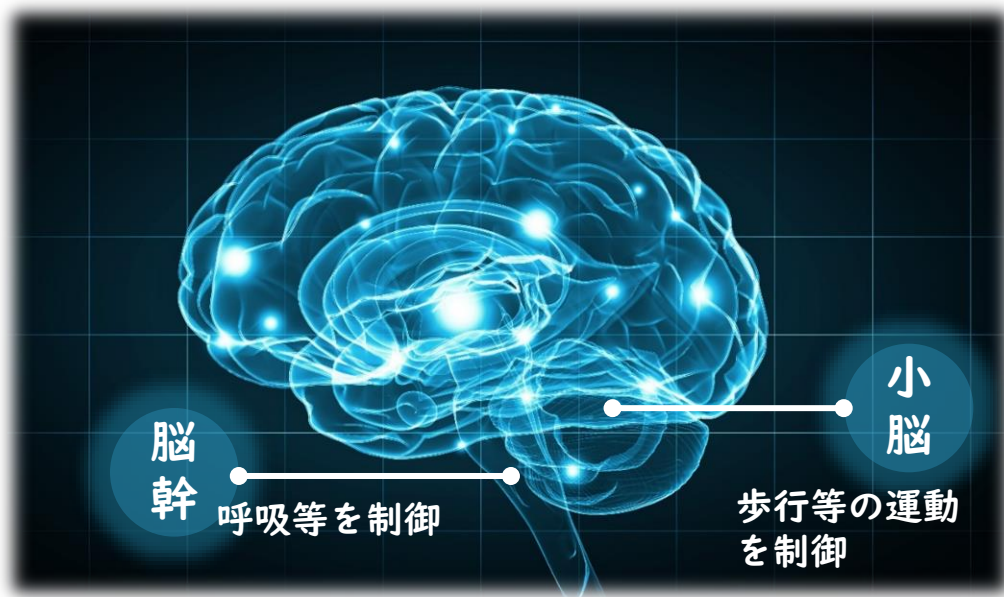
2. 2020年3月期第4四半期決算概要

名 称	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 	共同開発 
細胞種	体性幹細胞 (脂肪組織由来MSC)	iPS神経グリア細胞
対象疾患	脊髄小脳変性症ほか	各種神経系疾患 ・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	第II相臨床試験 2020年2月: 1 例目の投与	前臨床試験

脊髄小脳変性症

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（ふらつく、まっすぐ歩けない）や嚥下障害（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）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。

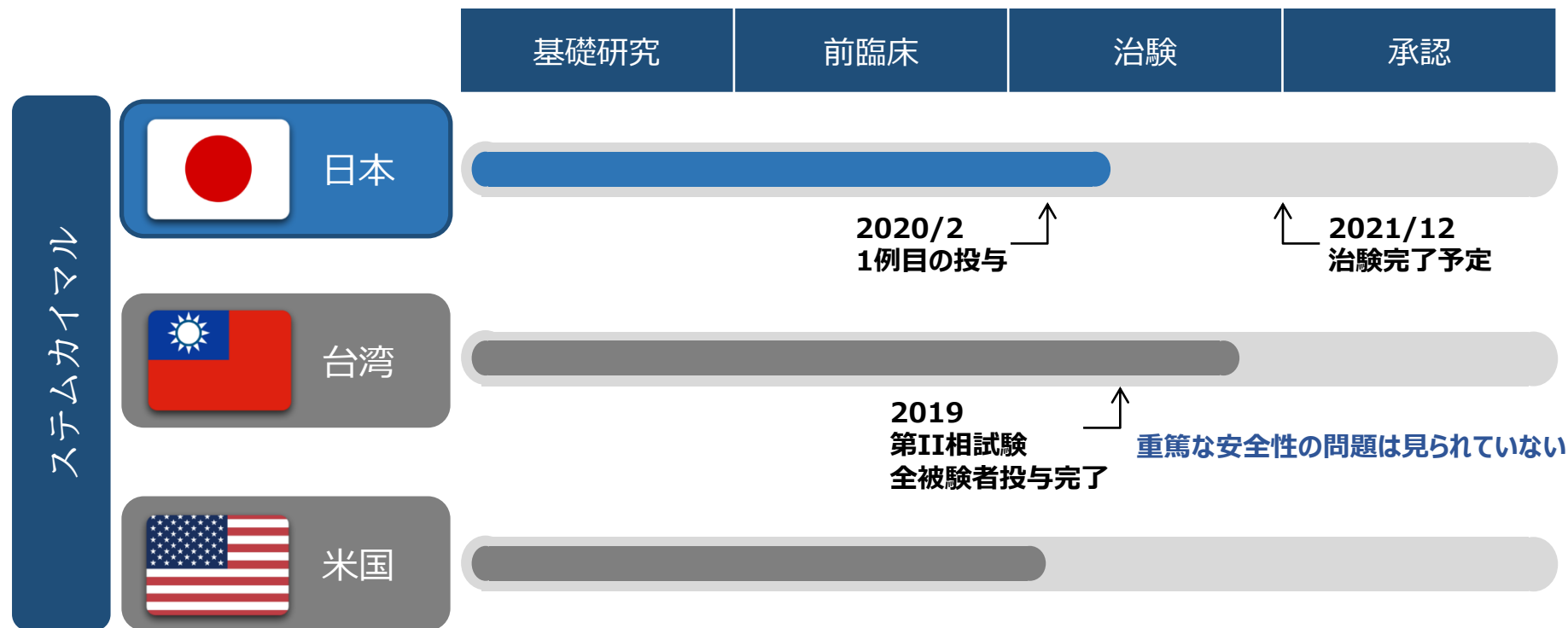
国内患者数は約30,000人（約4,000人に1人）の希少疾患であり、20歳前後から60歳前後まで幅広い年齢で発病することが知られています。



既存薬の国内年間売上は
約180億円

ステムカイマルの開発状況

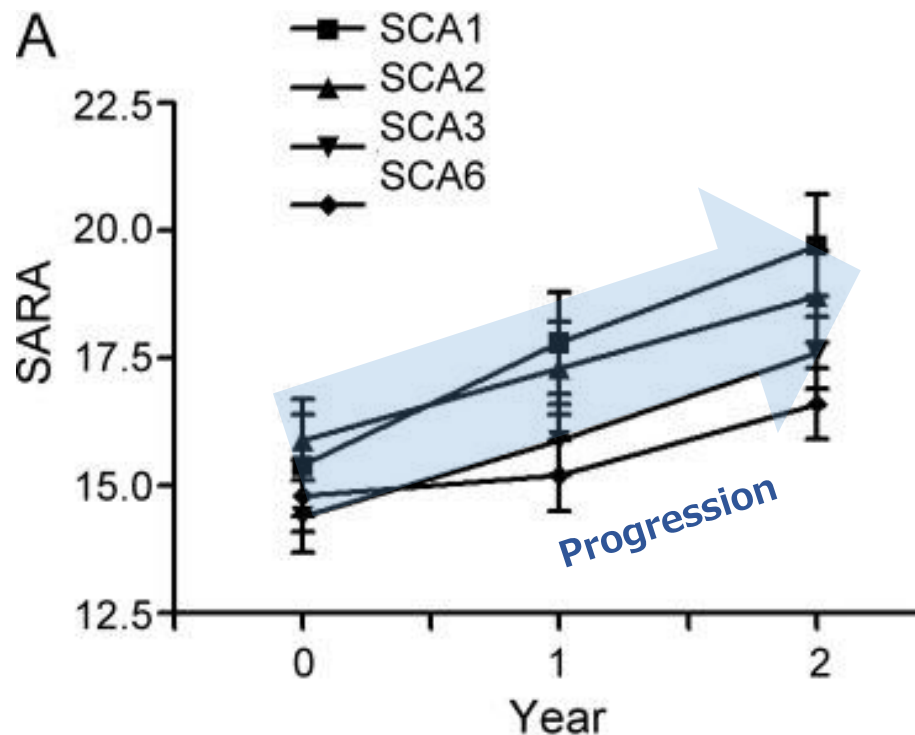
日本では2020年2月に1例目の投与を開始。観察期間も含め2021年12月に治験終了予定。
台湾では、第II相試験の全被験者への投与完了。重篤な安全性の問題は見られておりません。



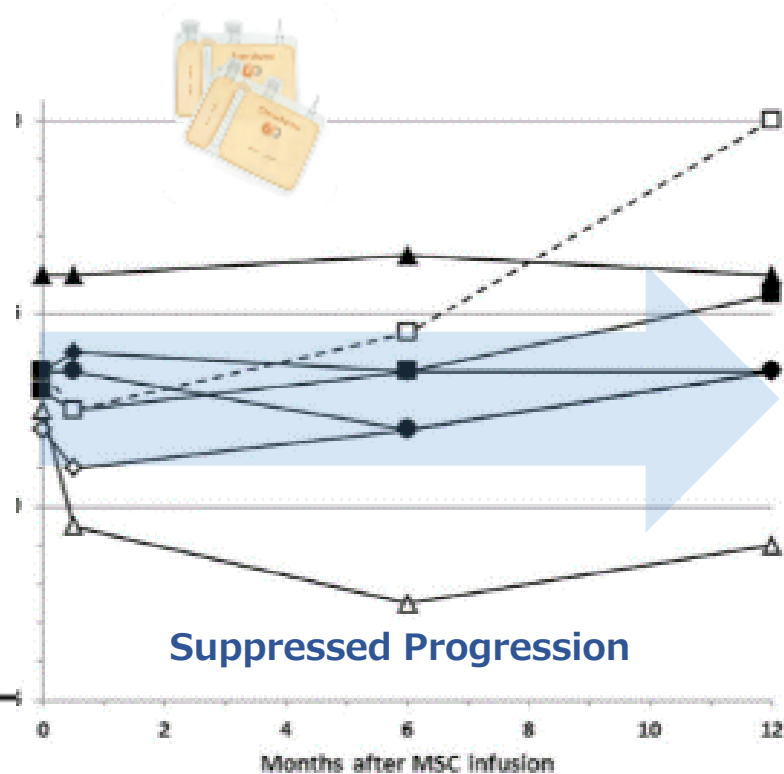
※日本ではリプロセルが独占的に開発を行っています。台湾と米国はステミネント社が主導で開発しています。

ステムカイマルの第I相臨床試験（台湾）

台湾の第I相試験では、脊髄小脳変性症の進行抑制効果を示唆するデータが得られています



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

日本での第II相試験の概要

本臨床試験では、最も科学的に信頼性の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

日本での治験状況

2020年2月に初回被験者登録を実施

2020年7月時点、国内10施設と治験契約を締結済み

国立大学法人 北海道大学病院

国立大学法人 新潟大学医歯学総合病院

国立大学法人 東京大学医学部附属病院

国立研究開発法人 国立精神・神経医療研究センター

国立大学法人 千葉大学医学部附属病院

独立行政法人国立病院機構 相模原病院

国立大学法人 信州大学医学部附属病院

国立大学法人 名古屋大学医学部附属病院

国立大学法人 鳥取大学医学部附属病院

国立大学法人 岡山大学病院



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、STEMカイマルが希少疾病用再生医療等製品として指定されております

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

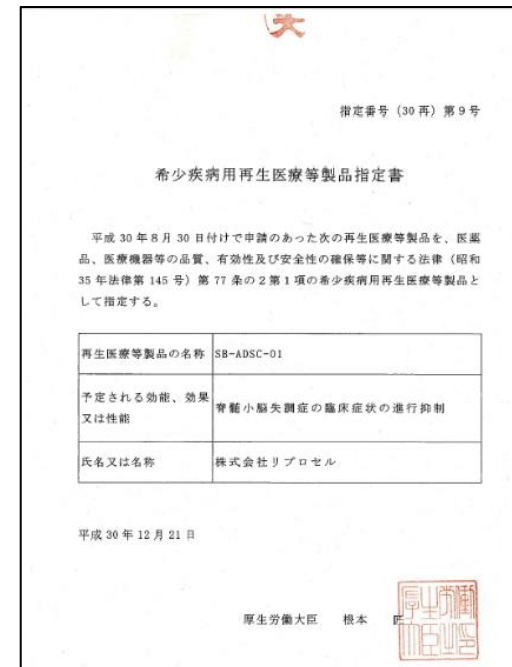
1. 開発経費に対する助成金の交付

→ **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

* 医薬品医療機器法第77条の2



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

指定書

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



基礎研究

前臨床

治験

承認

iPS神経
グリア細胞

筋萎縮性側索硬化症 (ALS)

横断性脊髄炎 (TM)

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)

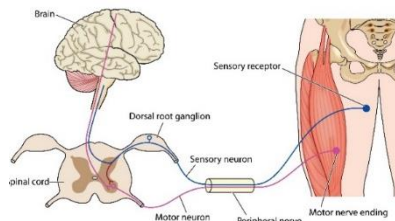
体を動かすための神経系（運動神経）が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感 は正常であり、知能の低下もありません。

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

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・デナ・リープ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

iPS神経グリア細胞の将来展望

ALS、横断性脊髄炎だけでなく、将来、様々な神経変性疾患への適用拡大を目指します

iPS神経グリア細胞のターゲット疾患の米国における統計データ

	優先的に開発に着手		今後の展開				
	ALS	横断性脊髄炎	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
患者数 (人)	30,000	44,000	280,000	30,000	400,000	1,000,000	5,000,000
年間発症者数 (人)	5,600	1,700	12,000	1,500	10,400	—	—
年間社会負担	1,100億円	1,200億円	6,600億円	—	6,600億円	16兆円	110兆円

殿町・リプロセル再生医療センター

川崎市殿町地区に、殿町・リプロセル再生医療センターを設立
当CPCにて、臨床用iPS細胞、iPS神経グリア細胞の開発製造を行う予定です

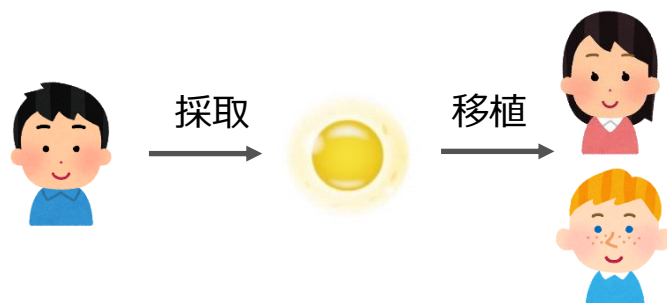
再生細胞医療産業化拠点
ライフイノベーションセンター（LIC）
（神奈川県が設置・運営）



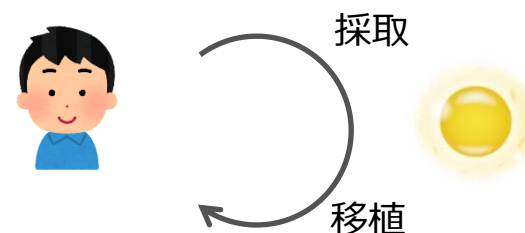
殿町・リプロセル再生医療センター（1階）



臨床用iPS細胞



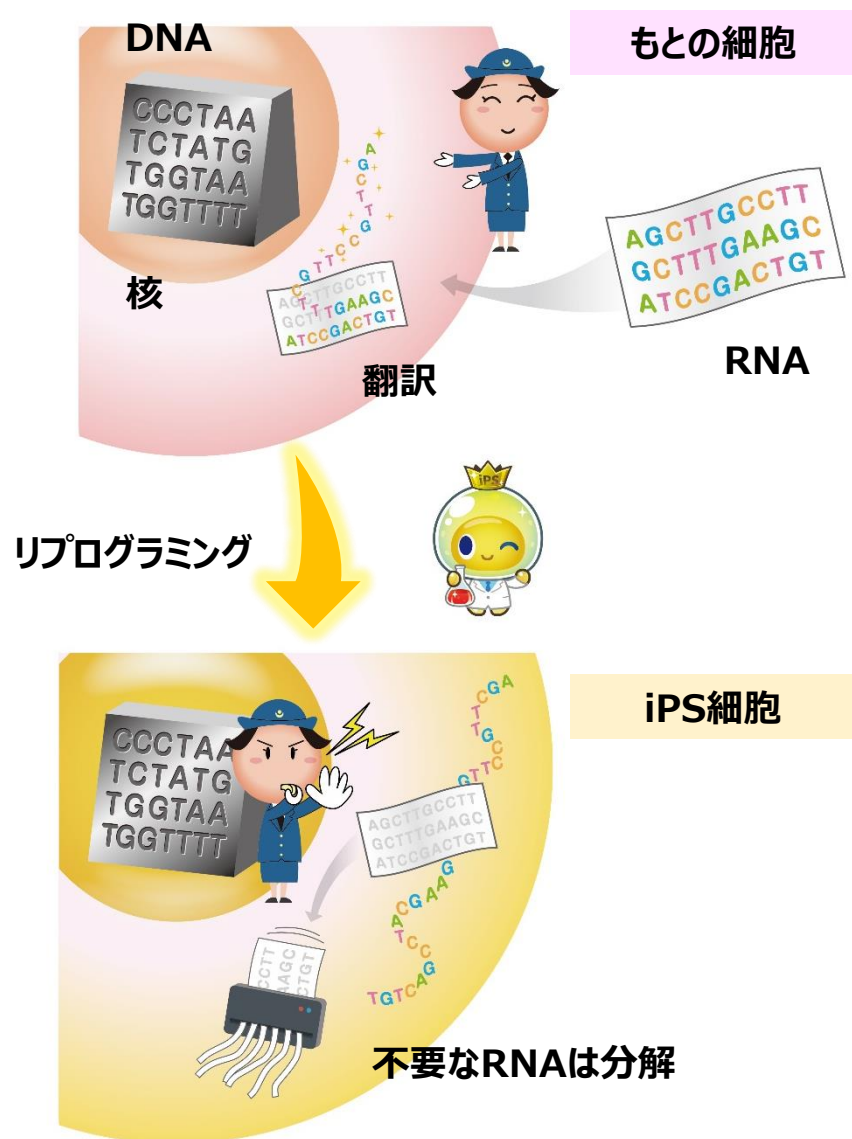
Personal iPS



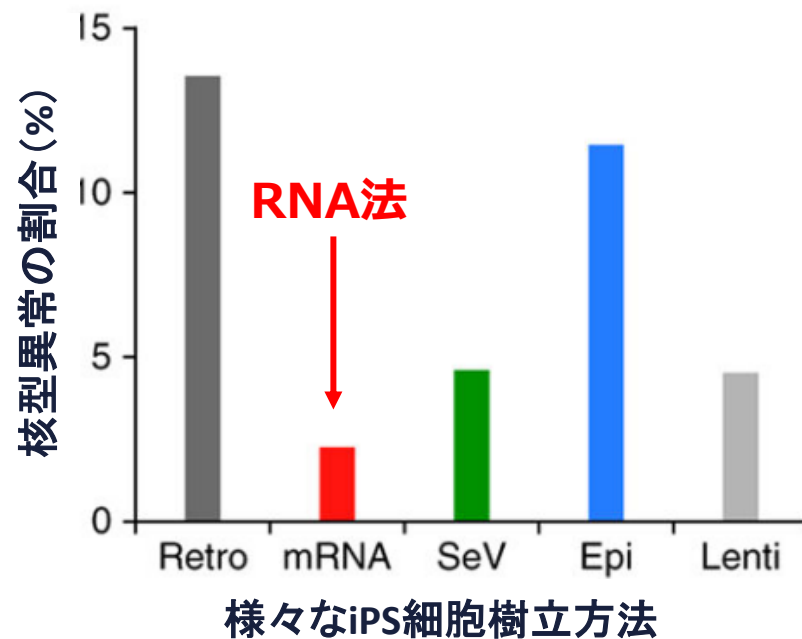
対象顧客	iPS細胞の再生医療を行う製薬企業等	個人
用途	他家細胞（他人の細胞）移植	自家細胞（本人の細胞）移植
免疫拒絶	基本的に免疫拒絶はあるが、細胞の種類により拒絶の強度は異なる	本人の細胞であるため、免疫拒絶の問題は回避できる
医療コスト	細胞を大量製造することによりコスト削減可能	他家移植に比べ高価になる可能性が高い。但し、パーソナルiPSでは適切なコストを実現
リプログラミング方法	RNAリプログラミング法	RNAリプログラミング法

RNAリプログラミング技術の優位点

RNAリプログラミング法は、ガン化のリスクを最小限に抑える最先端の技術です

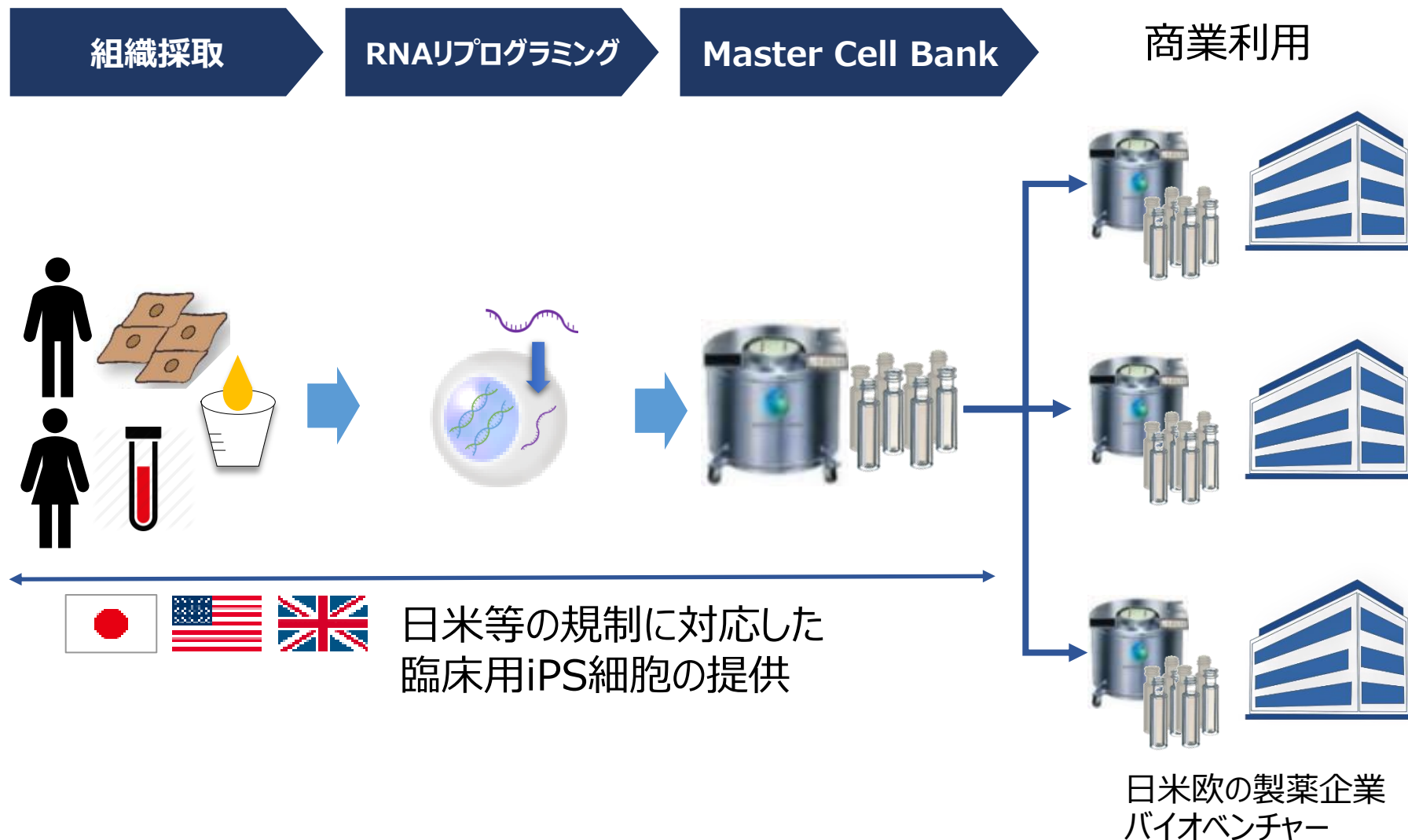


ゲノムの高い安定性



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

各国規制対応・臨床用iPS細胞



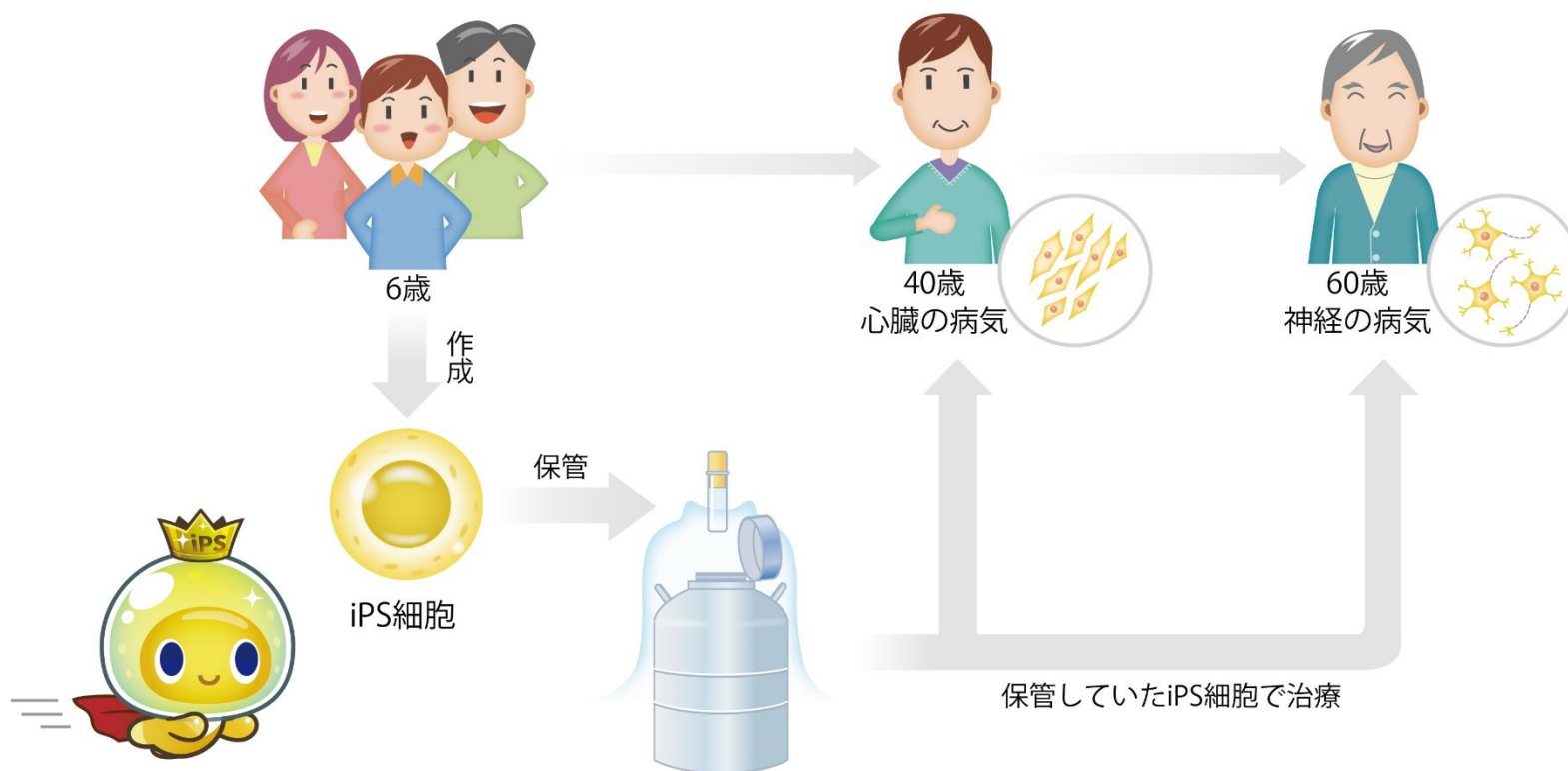
臨床用iPS細胞のニーズ

	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

パーソナルiPS

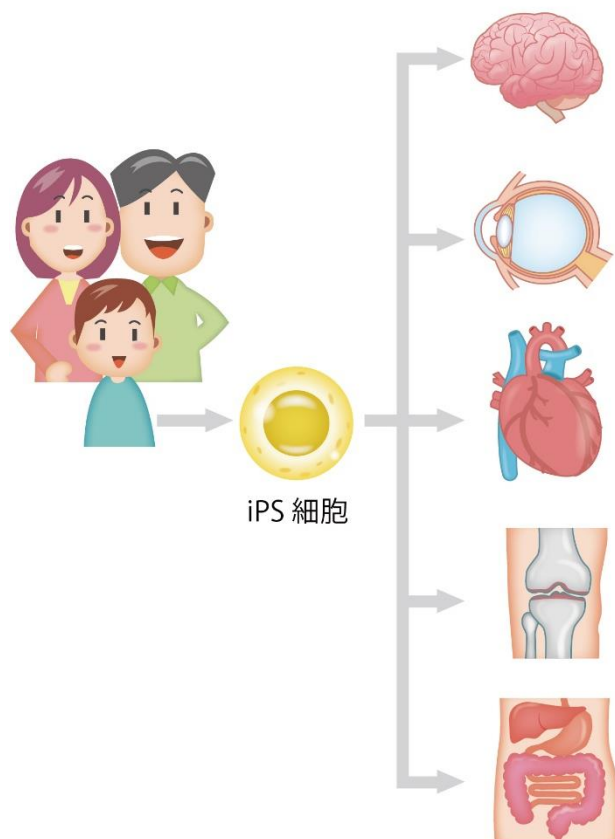
パーソナルiPSは、一般の方向けのiPS細胞作製・保管サービスです。将来の疾患や怪我に備えて、ご本人様のiPS細胞を作製し長期保管します。

Personal iPS



想定されるパーソナルiPSの用途

様々な疾患でiPS細胞の臨床研究/試験が進んでおります。iPS細胞の臨床応用が進むほど、将来パーソナルiPSが使用できる用途も広がると考えられます。



●iPS 細胞を用いた臨床研究の実施状況 2019 年 10 月時点

疾患名	フェーズ	実施機関
滲出型加齢黄斑変性	臨床研究	理化学研究所 / 神戸市立医療センター中央市民病院
角膜上皮幹細胞疲弊症	臨床研究	大阪大学大学院医学系研究科
パーキンソン病	治験 (第 I / II / III 相)	京都大学医学部附属病院
虚血性心筋症	治験 / 臨床研究	大阪大学大学院医学系研究科
亜急性期脊髄損傷疾患	臨床研究	慶應義塾大学病院 / 国内製薬企業 / 慶應義塾大学 / 大阪医療センター / 国内バイオベンチャー

1. 2020年3月期第4四半期事業進捗

- 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4四半期決算概要

連結損益計算書

(単位：百万円)	2019年3月期 実績	2020年3月期 実績	主な増減
売上高	1,088	1,199	10%増加 ↗
製品売上高	600	656	
役務収益	488	543	研究受託サービス40%増加 ↗ 臨床検査50%減少 ↘
売上総利益	496	474	
販売費及び一般管理費	1,277	1,383	
研究開発費	273	454	* 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ймール治験費用
その他の販売費 及び一般管理費	1,004	928	
営業利益又は損失(△)	△ 781	△ 908	
経常利益又は損失(△)	△ 627	△ 891	* 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(△)	△ 628	△ 1,017	* RPC IND移転費用及び減損損失計上

インド減損損失115百万円

連結貸借対照表

(単位：百万円)	2019年3月末		2020年3月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	6,202	82.8%	5,730	87.4%	△ 472
うち、現金及び預金	4,112	54.9%	4,585	70.0%	473
うち、有価証券	1,600	21.4%	600	9.2%	△ 1,000
固定資産	1,287	17.2%	822	12.5%	△ 465
うち、無形固定資産	112	1.5%	42	0.6%	△ 70
うち、投資有価証券	929	12.4%	69	1.1%	△ 860
総資産	7,489	100.0%	6,553	100.0%	△ 936
流動負債	330	4.4%	406	6.2%	76
固定負債	88	1.2%	87	1.3%	△ 1
純資産	7,071	94.4%	6,058	92.4%	△ 1,013
負債及び純資産	7,489	100.0%	6,553	100.0%	△ 936

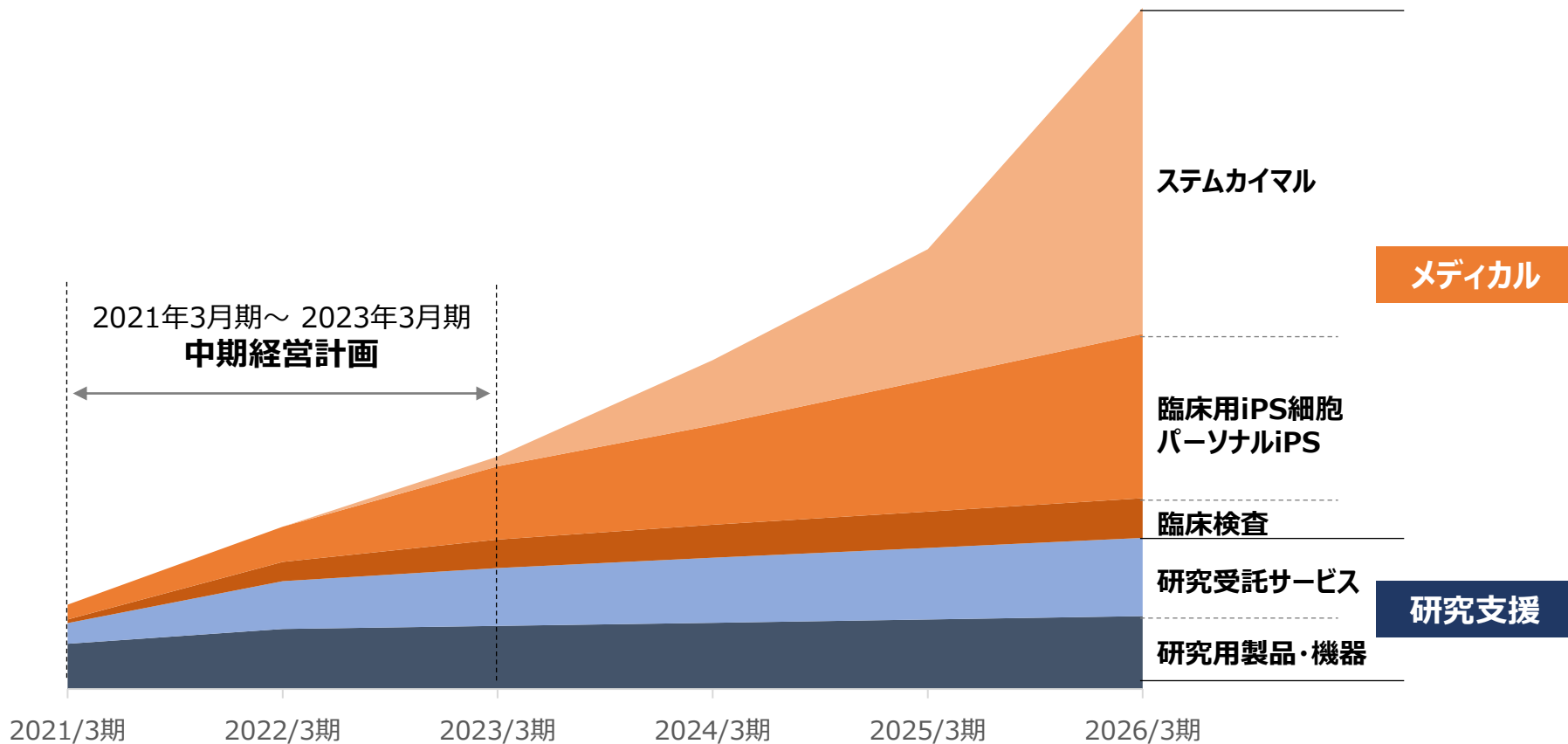
【有価証券及び投資有価証券】

- 短期運用商品変更に伴う計上科目の変更及び期間満了による償還

事業成長イメージ(2026/3期まで)

2023/3期まで（中期経営計画）：研究支援、メディカルともに成長を目指します

2024/3期以降：STEM細胞の承認により大幅な売上増を目指します



注：本グラフは事業成長イメージであり、定量的な予測および目標ではありません

中期経営計画

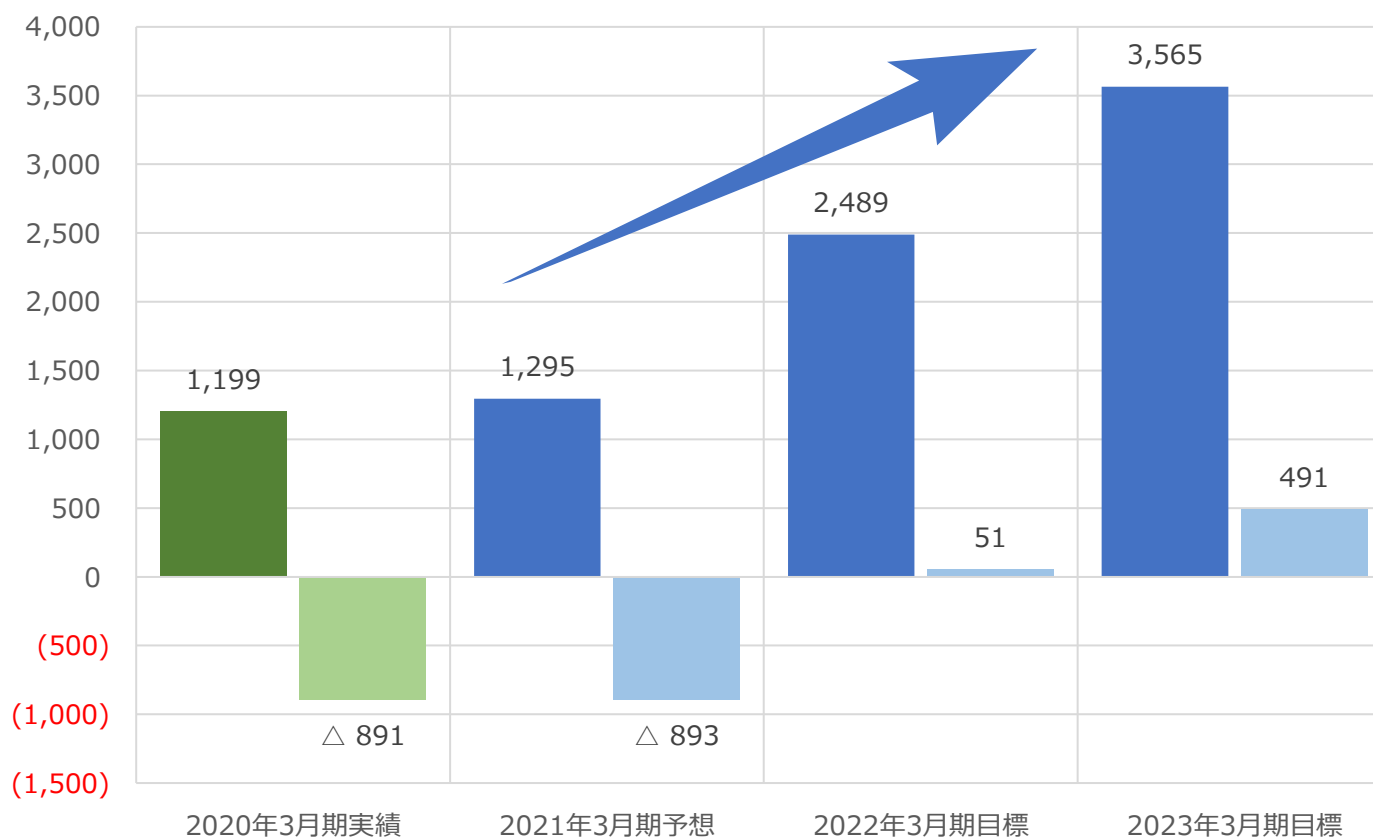
研究支援、メディカルともに成長させ、早期の黒字化を目指します

[単位：百万円]

■ 連結売上高

■ 連結経常損益

- 研究受託サービスの拡大
- 臨床用iPS細胞、パーソナルiPSの立ち上げ
- ステムカイマルの治験と承認



注：2021/3月期の前半は新型コロナウイルスの影響を考慮。2022/3期以降の影響はないと仮定している

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>