

東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2021年3月期第2四半期
決算説明会

2020年12月11日



新型コロナウイルスの影響

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。

- **全体**

2021年3月期Q1の売上は対前年比34.5%減と新型コロナウイルスの影響を大きく受けましたが、Q2(累計)では8.9%増と回復傾向にあります。今後の新型コロナウイルスの影響については先行き不透明な部分もありますが、英国でワクチンが承認されるなど明るいニュースもあります。

- **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、特にQ1において一時的に研究活動が制限されましたが、Q2以降、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出ております。

- **メディカル事業**

これまで、STEM細胞の培養および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

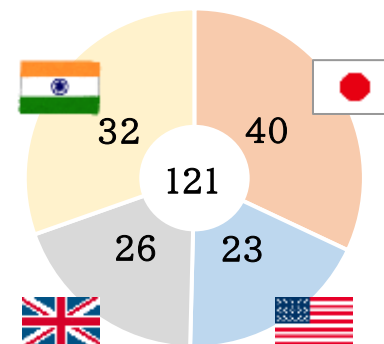
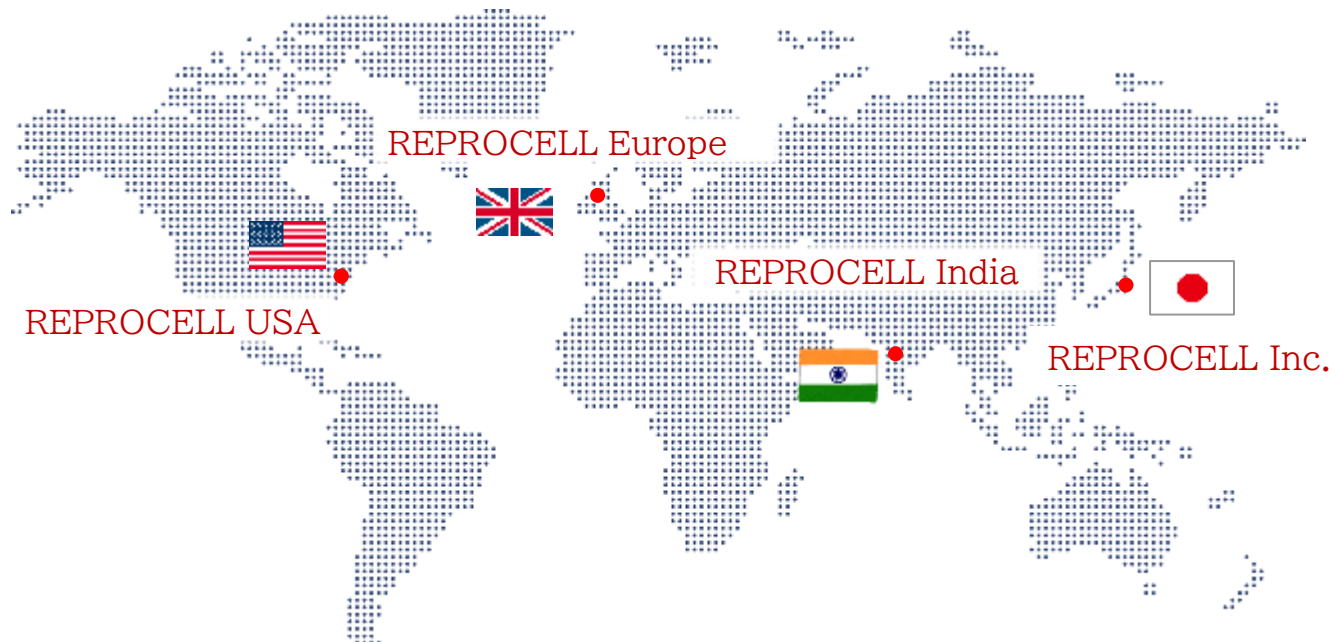
- 2021/22冬期シーズンへの供給に向け2021年初頭に臨床試験に入ることを目指す

1. 2021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. 2021年3月期第2四半期決算概要

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:メリーランド



イギリス:グラスゴー



インド:ハイデラバード

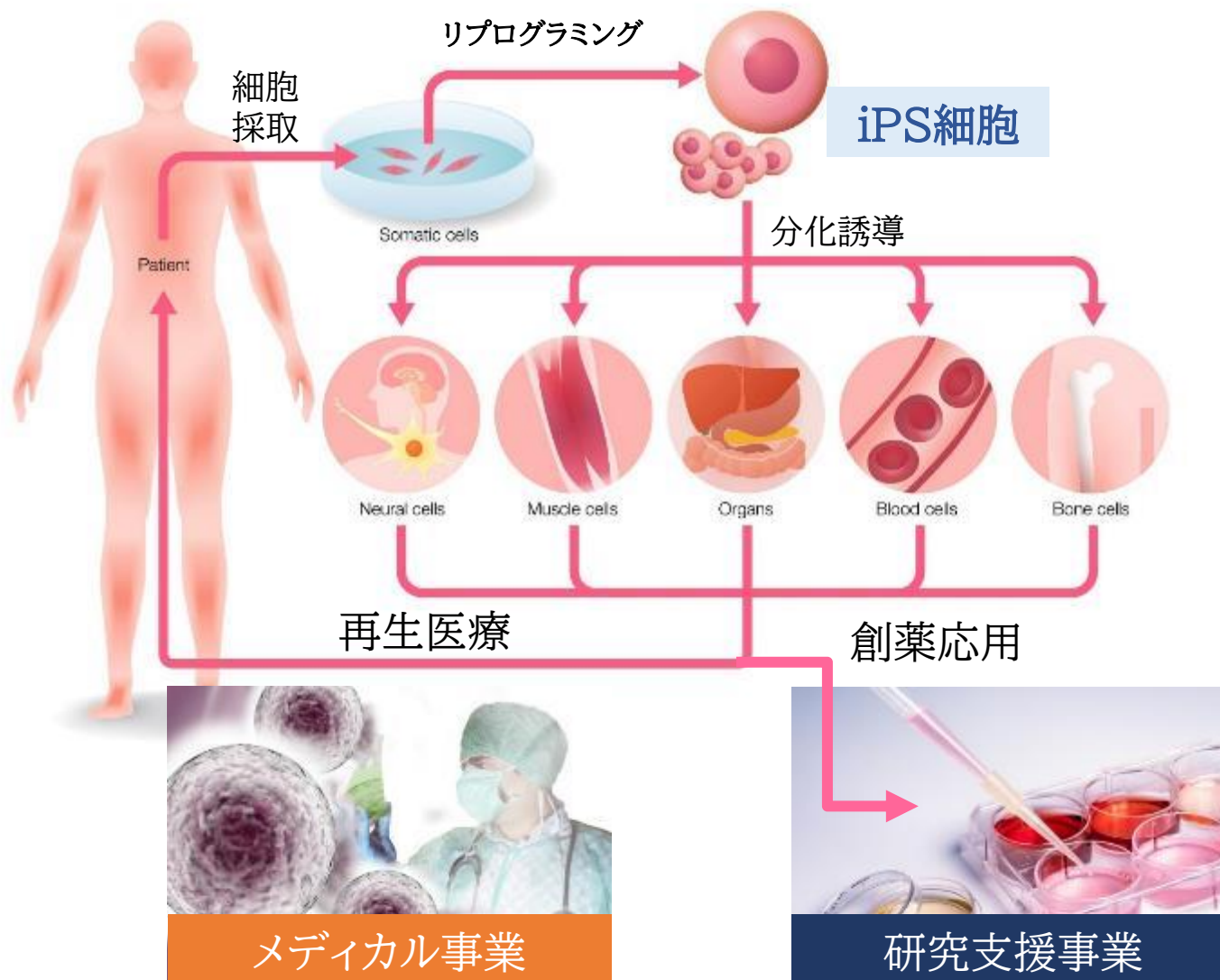


本社:新横浜

- ▶ 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

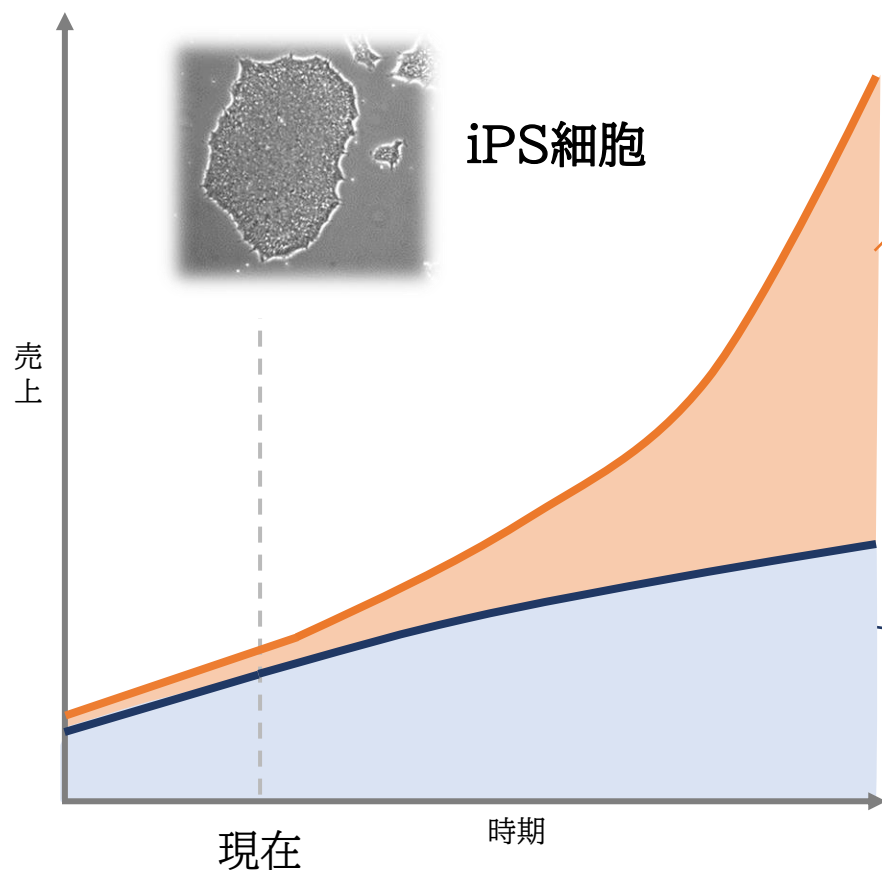
iPS細胞について

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

臨床検査

臨床iPS細胞

パーソナルiPS



研究支援事業

研究試薬

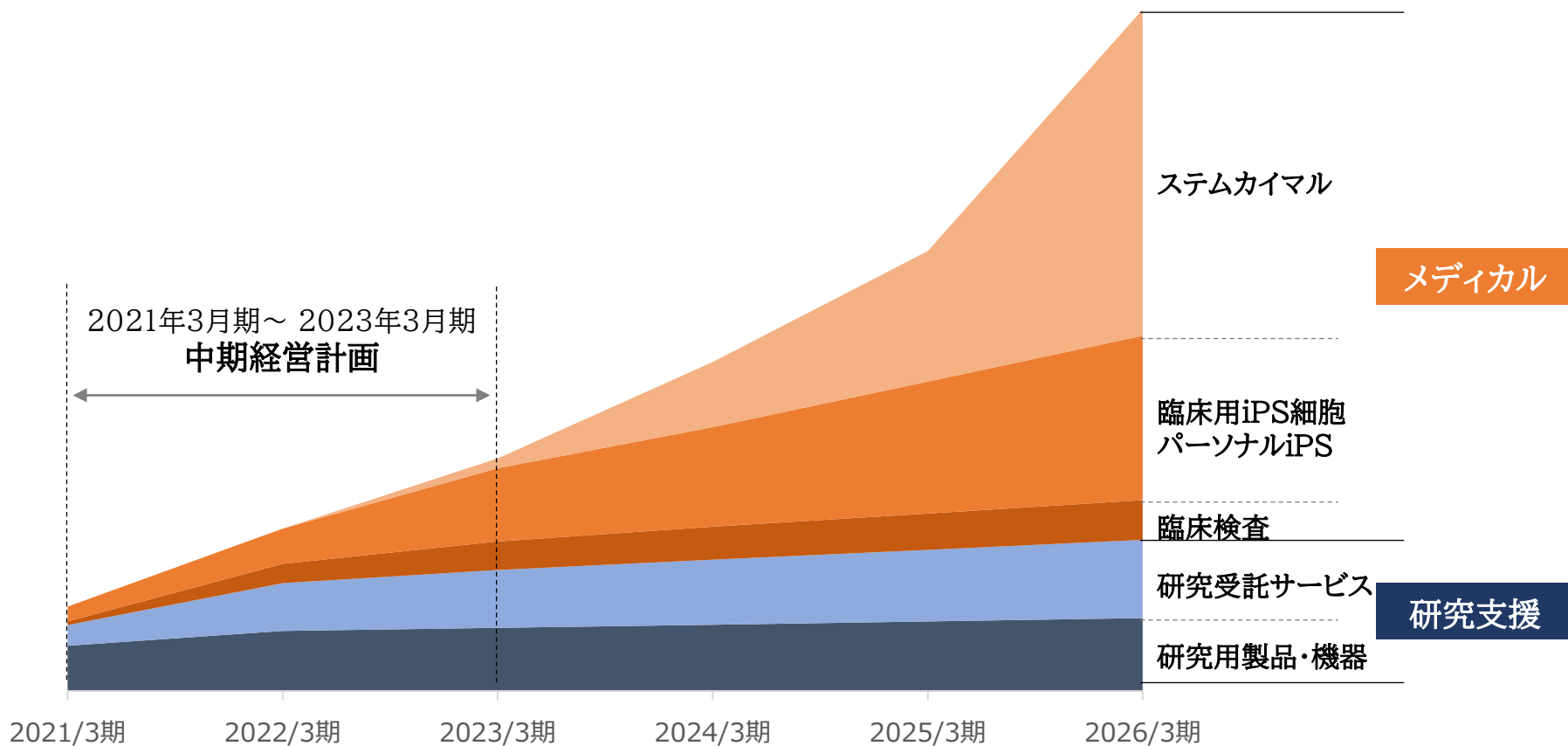
受託サービス

研究機器



事業成長イメージ(2026/3期まで)

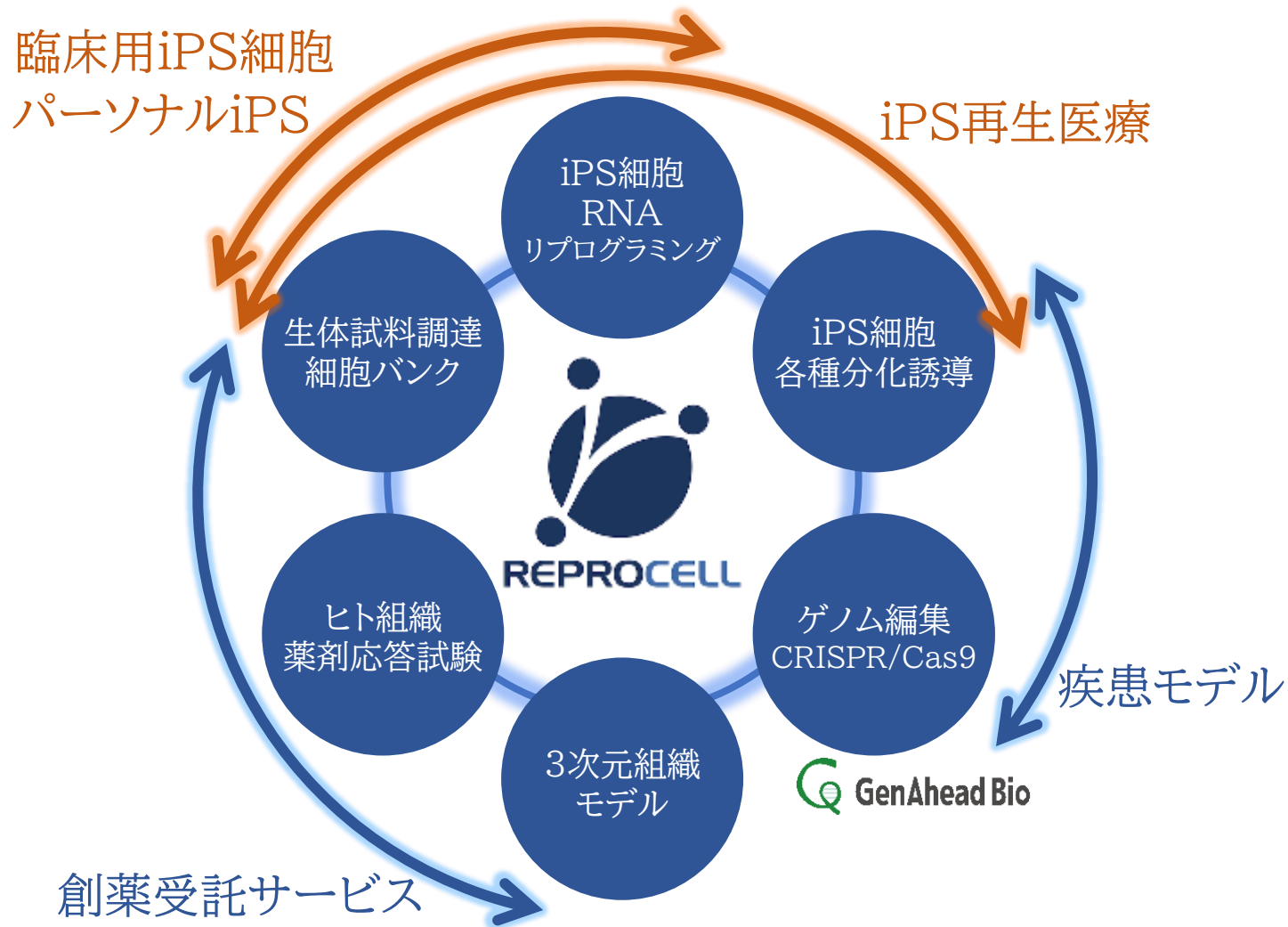
2023/3期まで(中期経営計画):研究支援、メディカルともに成長を目指します。
2024/3期以降:ステムカイマルの承認により大幅な売上増を目指します。



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

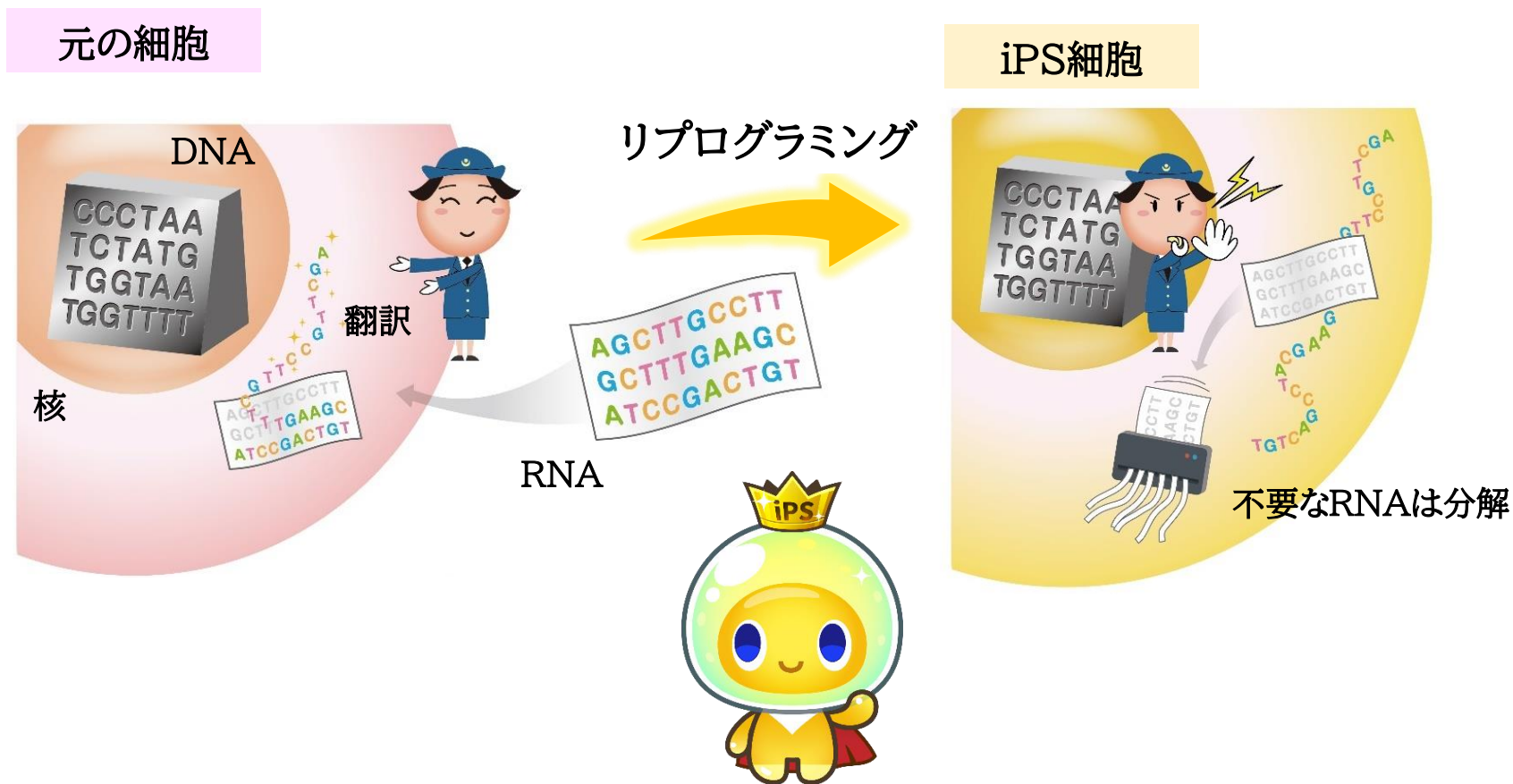
リプロセルの技術プラットフォーム

リプロセルでは提携も含め、最先端の細胞加工技術プラットフォームを有しております。



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。



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. 2021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. 2021年3月期第2四半期決算概要

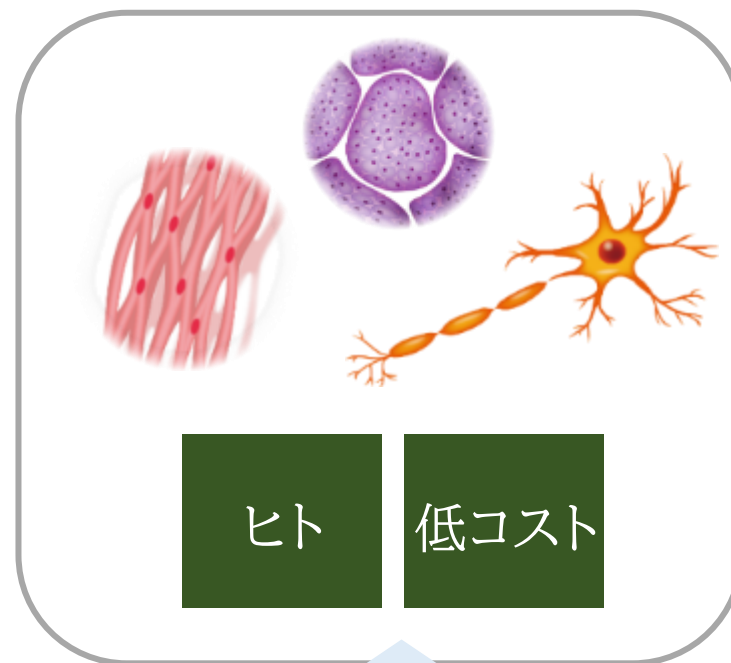
動物実験からヒト細胞を使った実験へ

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。
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

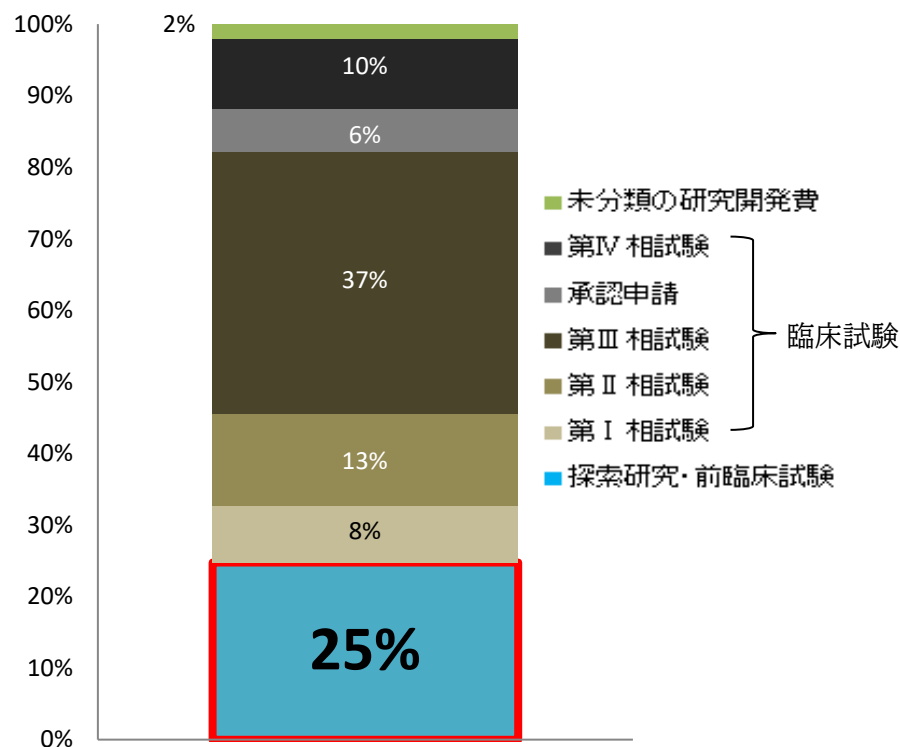
研究支援事業の市場規模

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。

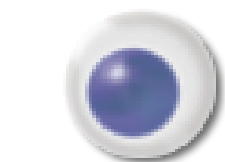


患者由来



患者由来

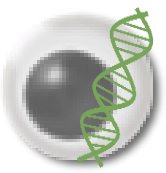
分化誘導



健常者iPS細胞

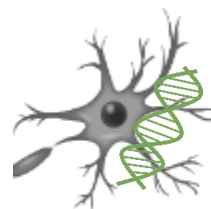


ゲノム編集
(CRISPR-SNIPER)



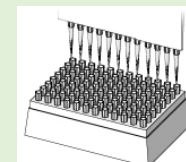
ゲノム編集

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



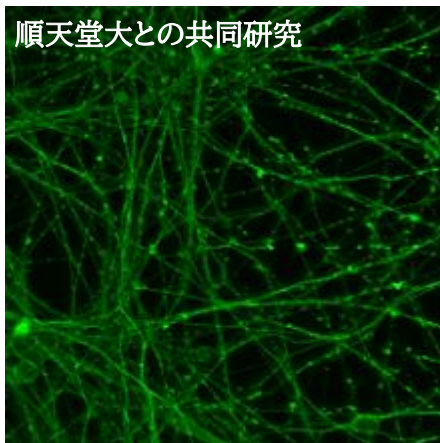
修復



任意の遺伝子配列の挿入
(ノックイン)

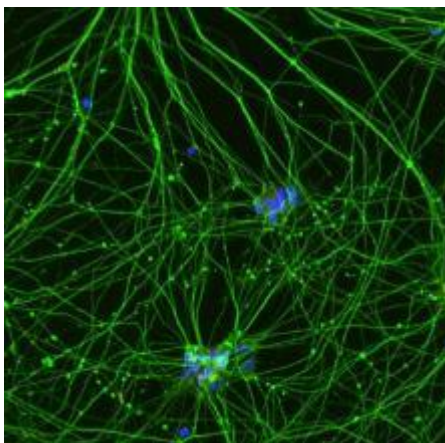
iPS細胞の創薬応用：分化細胞

iPS細胞から様々な細胞を作製する技術を有しており、付加価値の高いサービスを提供しております。

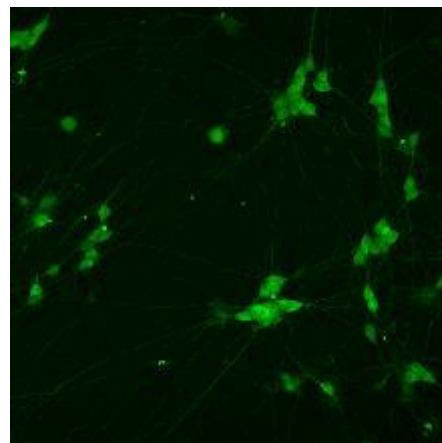


順天堂大との共同研究

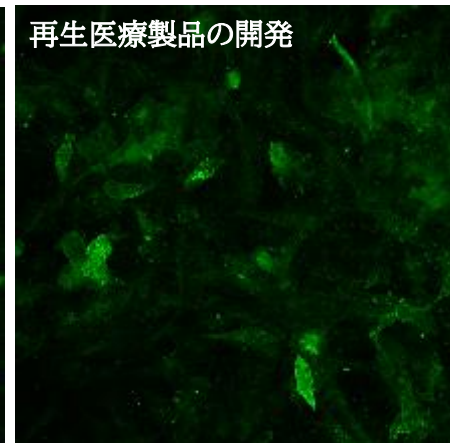
中枢神経細胞



運動神経細胞

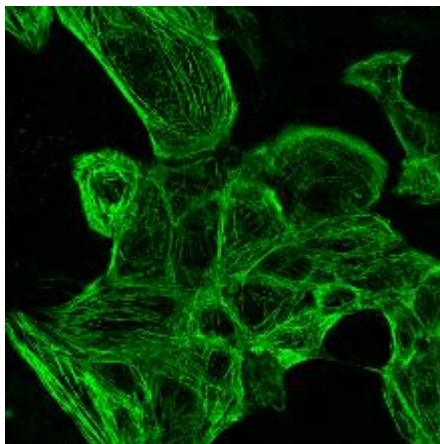


感覚神経細胞

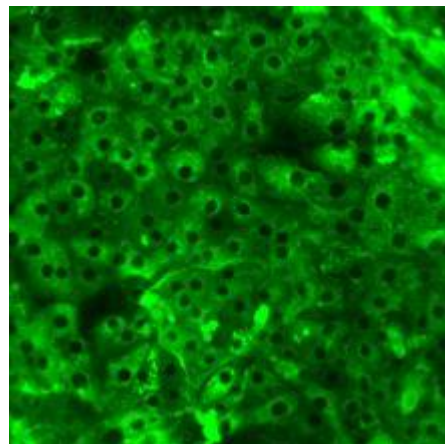


再生医療製品の開発

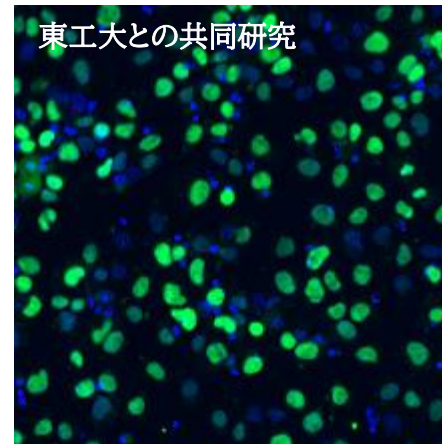
神経グリア細胞



心筋細胞

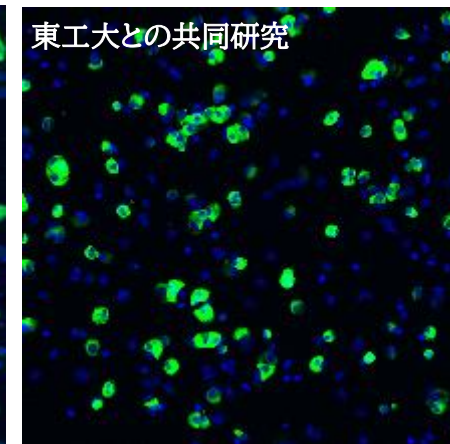


肝細胞



東工大との共同研究

小腸細胞



東工大との共同研究

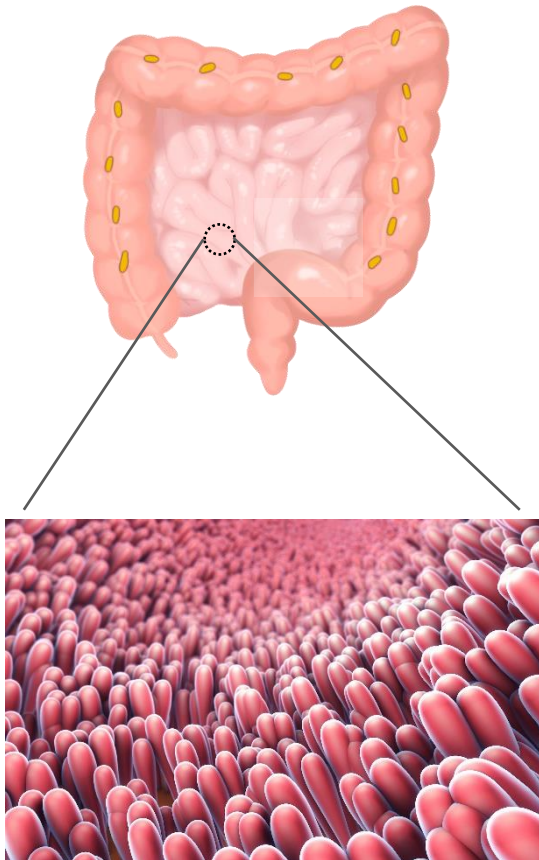
膵臓細胞

iPS細胞腸管上皮細胞(StemRNA Entero)

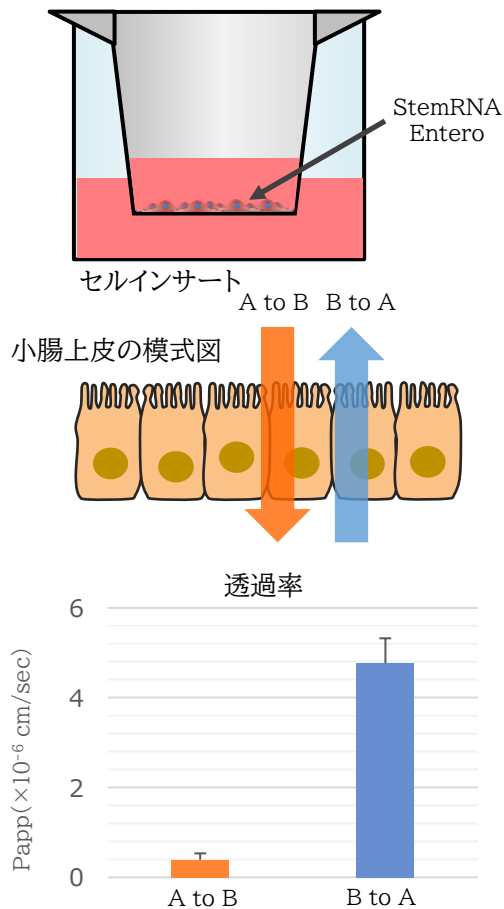
東京工業大学と共同でiPS細胞由来腸管上皮細胞を開発し販売を開始しました。

新製品

小腸模式図

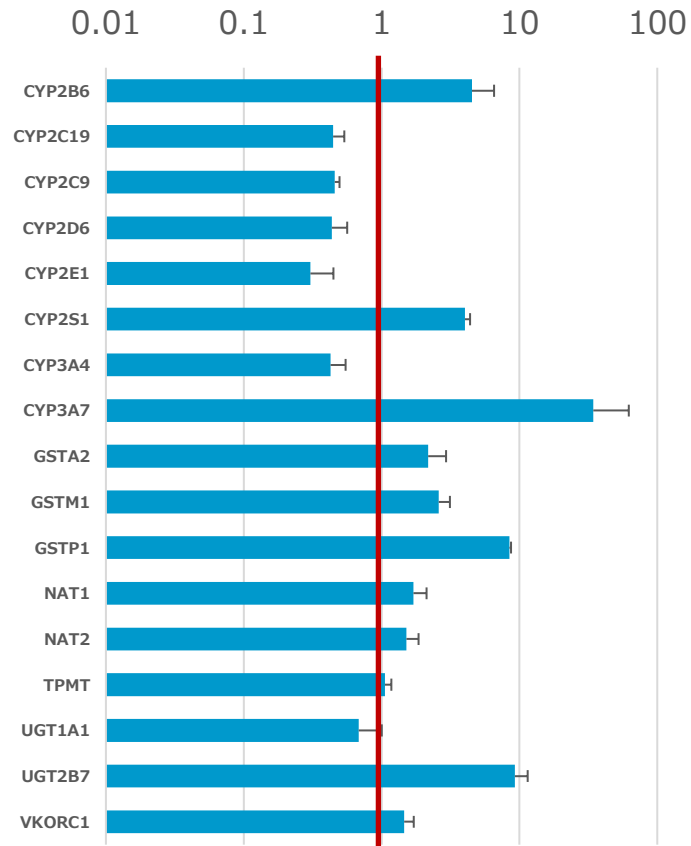


透過能試験



細胞極性が維持された機能的な透過能を有しています

各種代謝酵素の発現 (qPCR)



各種の代謝酵素が高発現しています。
ヒト小腸の発現量を1とした時の相対値

Maestro & iPS感覚神経細胞

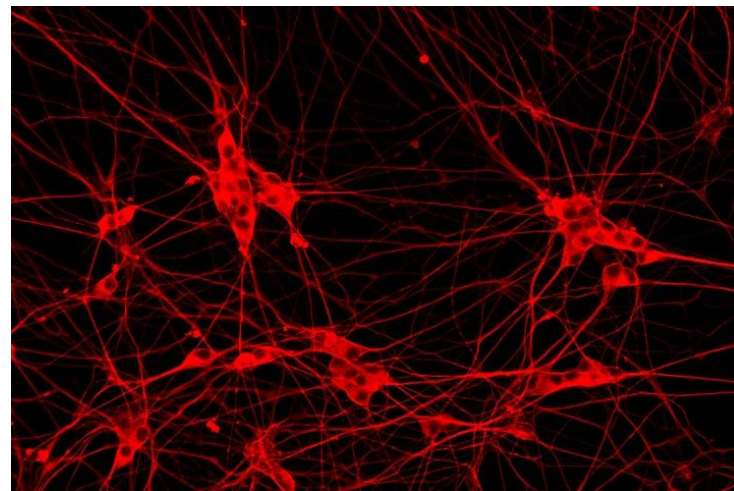
Axion社のMaestroとリプロセルで開発したiPS感覚神経細胞との組み合わせにより、電気生理学的な測定が誰でも容易に可能になりました。

Axion社 Maestroシリーズ

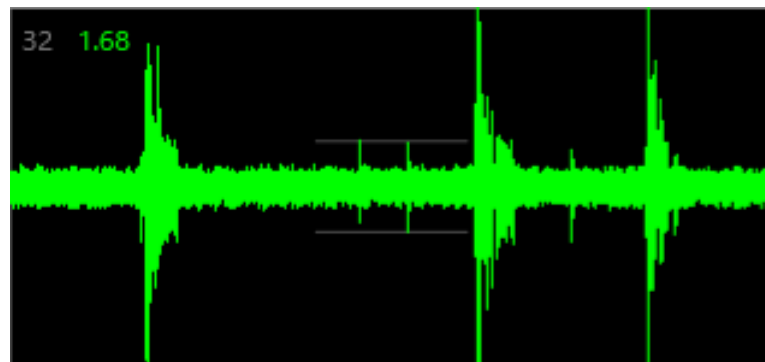


&

ヒトiPS感覚神経細胞



FANCL社との共同開発



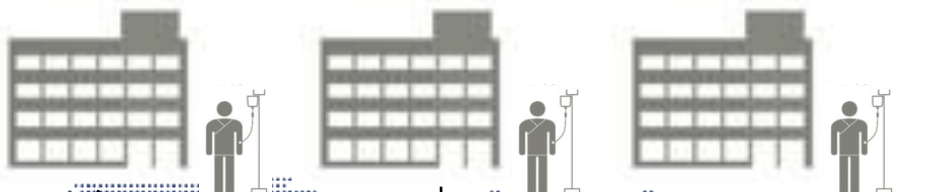
感覚神経細胞の活動を測定

新型コロナウイルス患者の生体試料の提供

新型コロナウイルス患者の生体試料を、グローバルの製薬企業に提供しております。

米国医療機関とのネットワークにより、
感染患者の生体試料を調達

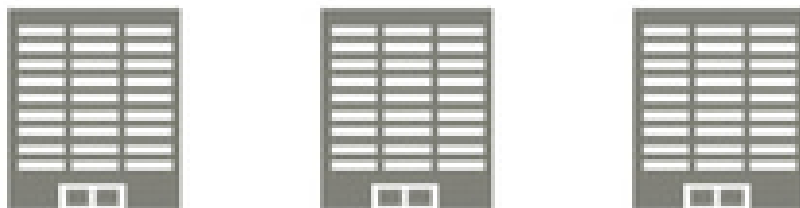
医療機関
(米国)



REPROCELL USA
バイオバンク



製薬企業
(グローバル)



製薬企業にて、新型コロナウイルスのワクチン
及び治療薬の研究開発等に使用

■ REPROCELL USA バイオバンク

設 立 / 1989年

責任者 / Rama Modali

場 所 / メリーランド州 米国

認 証 / CLIA
(No.21D1059245)

顧 客 / 大手製薬を含む
1,000機関以上

■ ご提供可能な生体試料

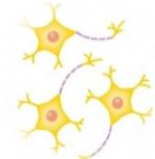
- ・ 全血
- ・ 血清
- ・ 血漿

※ 患者の治療中/治療後の生体使用の
提供が可能です。

1. 2021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

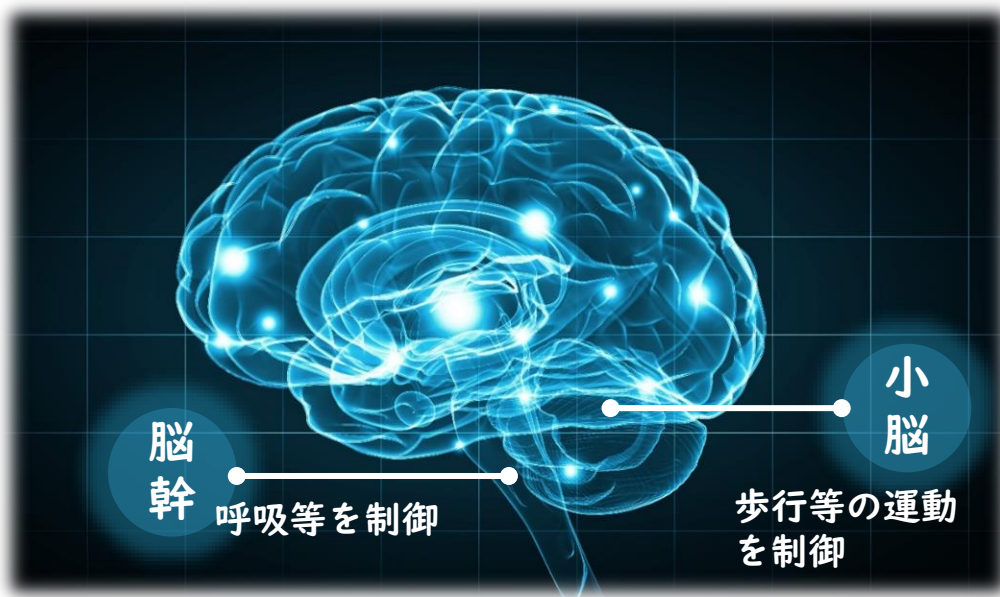
2. 2021年3月期第2四半期決算概要

名 称	ステムカイマル 	iPS神経グリア細胞 
開発パートナー	台湾ステミメント社	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。

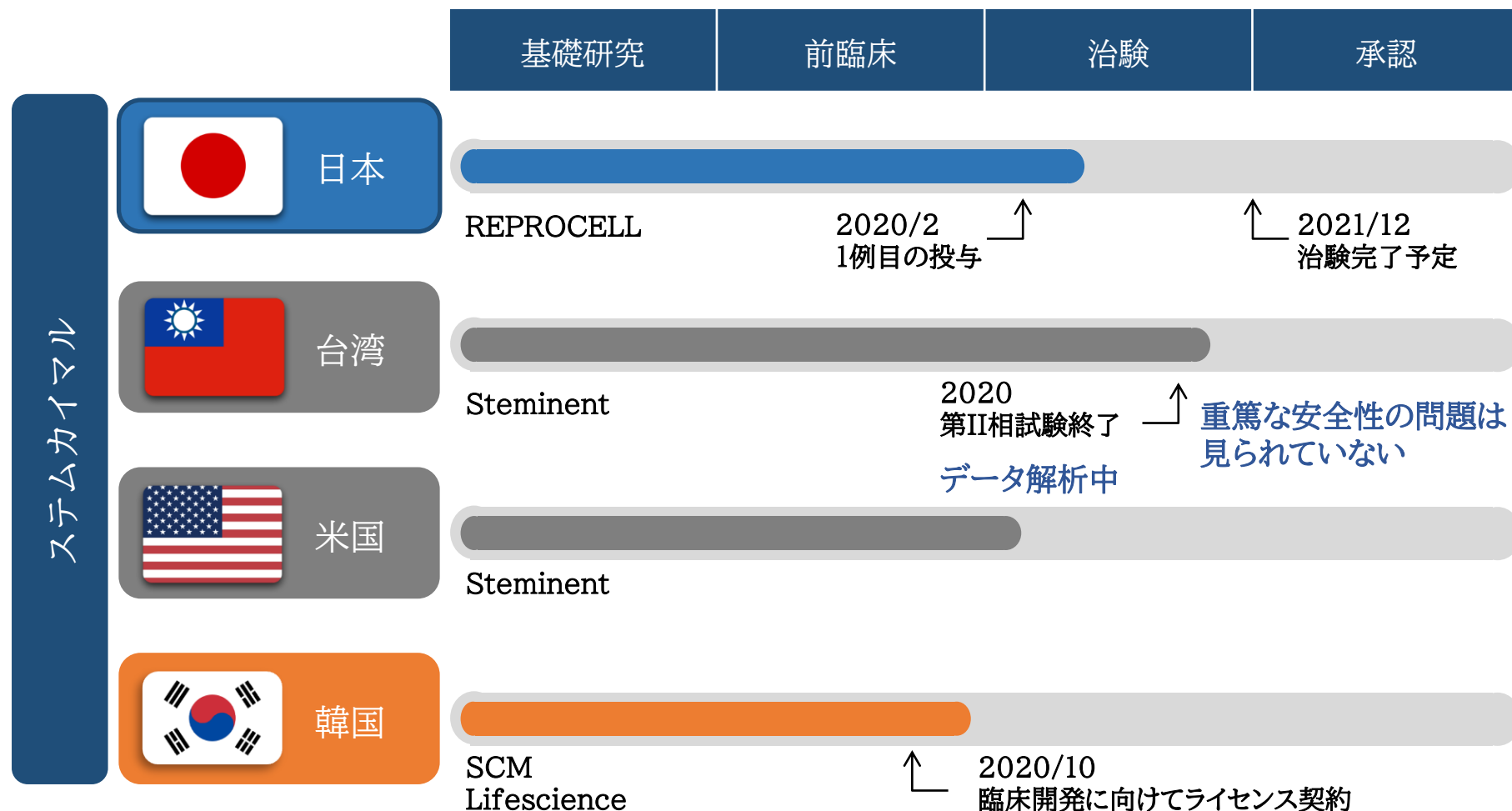
国内患者数は約30,000人（約4,000人に1人）の希少疾患であり、20歳前後から60歳前後まで幅広い年齢で発病することが知られています。



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相試験が終了しデータ解析中。重篤な安全性の問題は見られておりません。

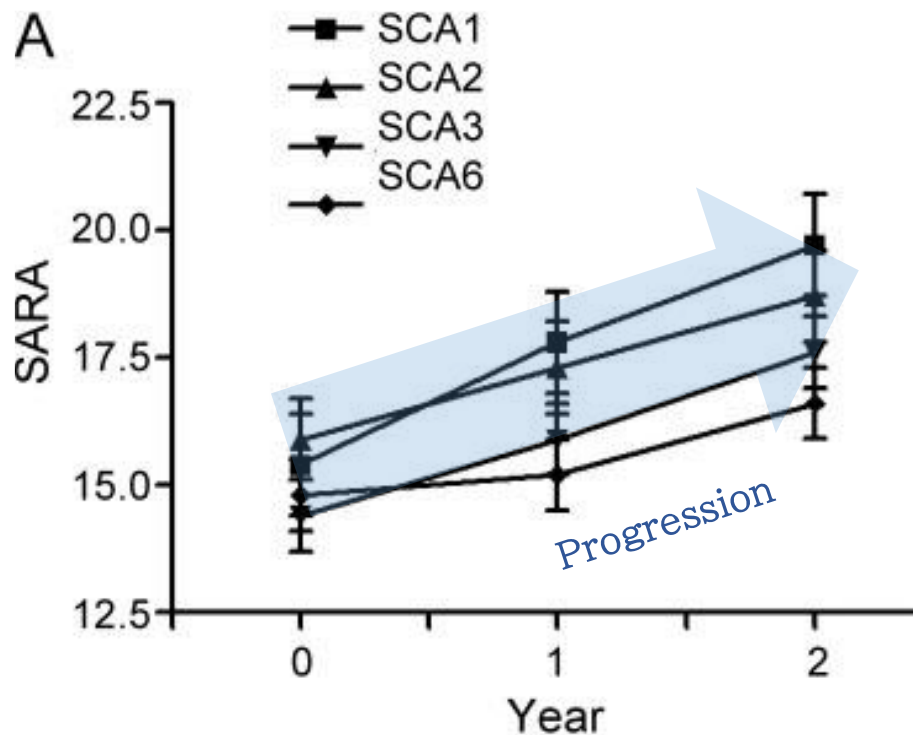


※日本ではリプロセルが独占的に開発を行っています。

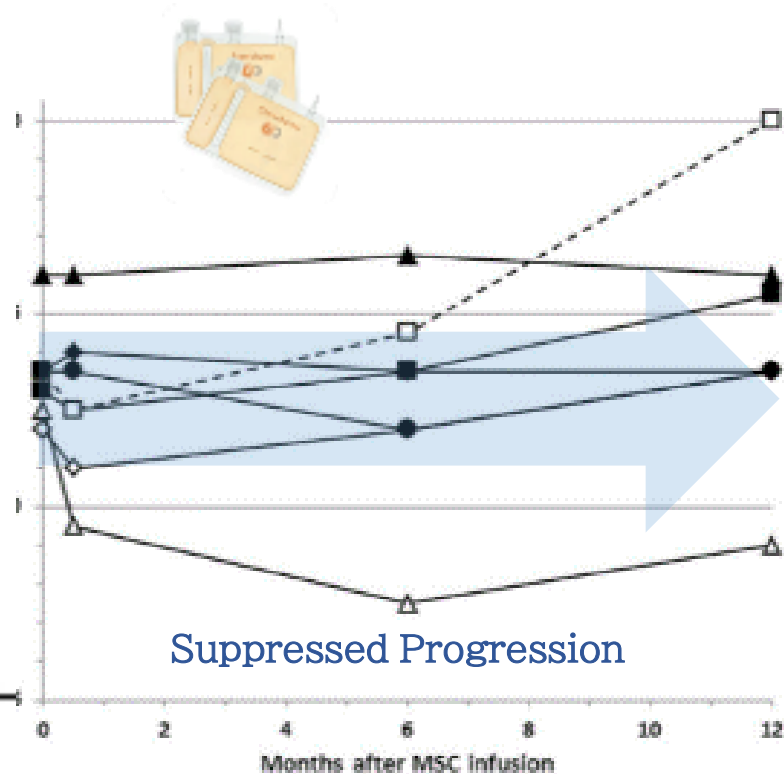
台湾と米国はステミネント社が主導で開発しており、韓国ではSCM Life science社が独占的に開発を行っています。

STEM細胞の第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)



STEM細胞投与群

実線: SCA3型患者(今回の試験対象)

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、静脈投与)

評価項目

主要評価項目:SARAスコア
※脊髄小脳変性症について、国際的に提唱されている半定量的な運動失調の評価法

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



日本での治験進捗状況

2020年2月 初回被験者登録を実施

2020年6月 安全性評価委員会で治験継続の許諾

2020年11月時点 約80%の組み入れが完了

被験者登録ステータス

約80%完了



治験実施医療機関

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



再生医療製品:iPS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

筋萎縮性側索硬化症(ALS)

横断性脊髄炎(TM)

iPS神経
グリア細胞

筋萎縮性側索硬化症(ALS)

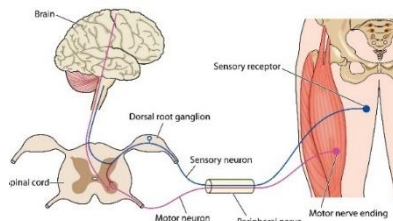
体を動かすための神経系(運動神経)が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感は正常であり、知能の低下也没有ありません。

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yna・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

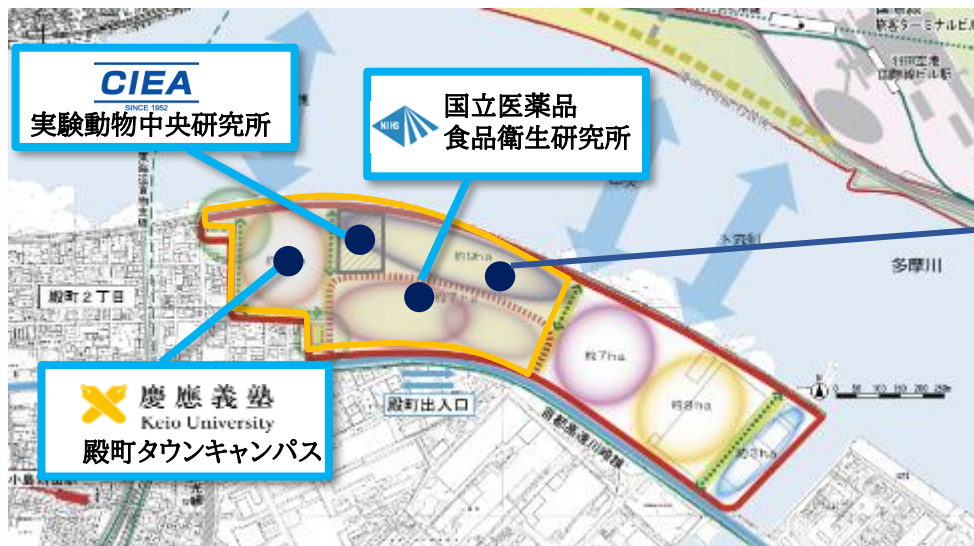
ALS、横断性脊髄炎だけでなく、将来、様々な神経変性疾患への適用拡大を目指します。

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

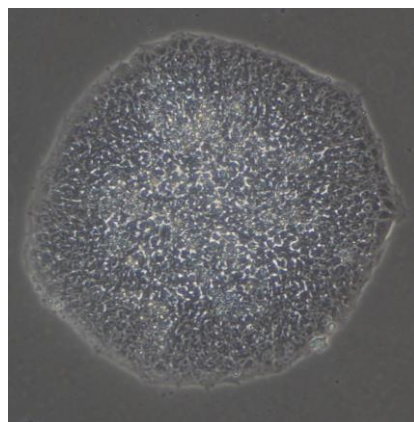
iPS神経グリア細胞の研究開発

iPS神経グリア細胞の治験薬製造拠点として殿町・リプロセル再生医療センターを設立しました。

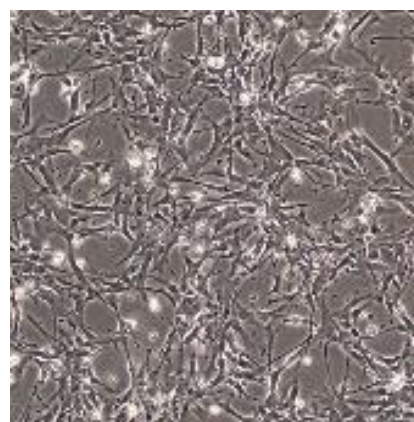


殿町・リプロセル再生医療センター

再生細胞医療産業化拠点
ライフノベーションセンター(LIC)

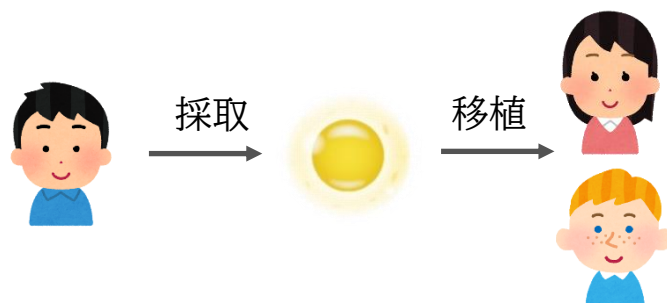


iPS細胞

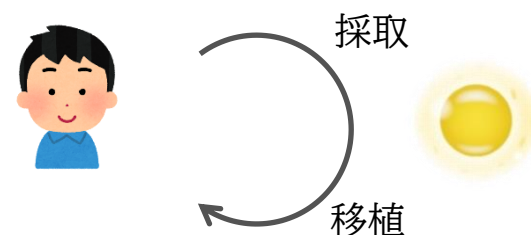


神経グリア細胞

臨床用iPS細胞 (製薬企業向け)



Personal iPS (個人向け)



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

臨床用iPS細胞(製薬企業向け)

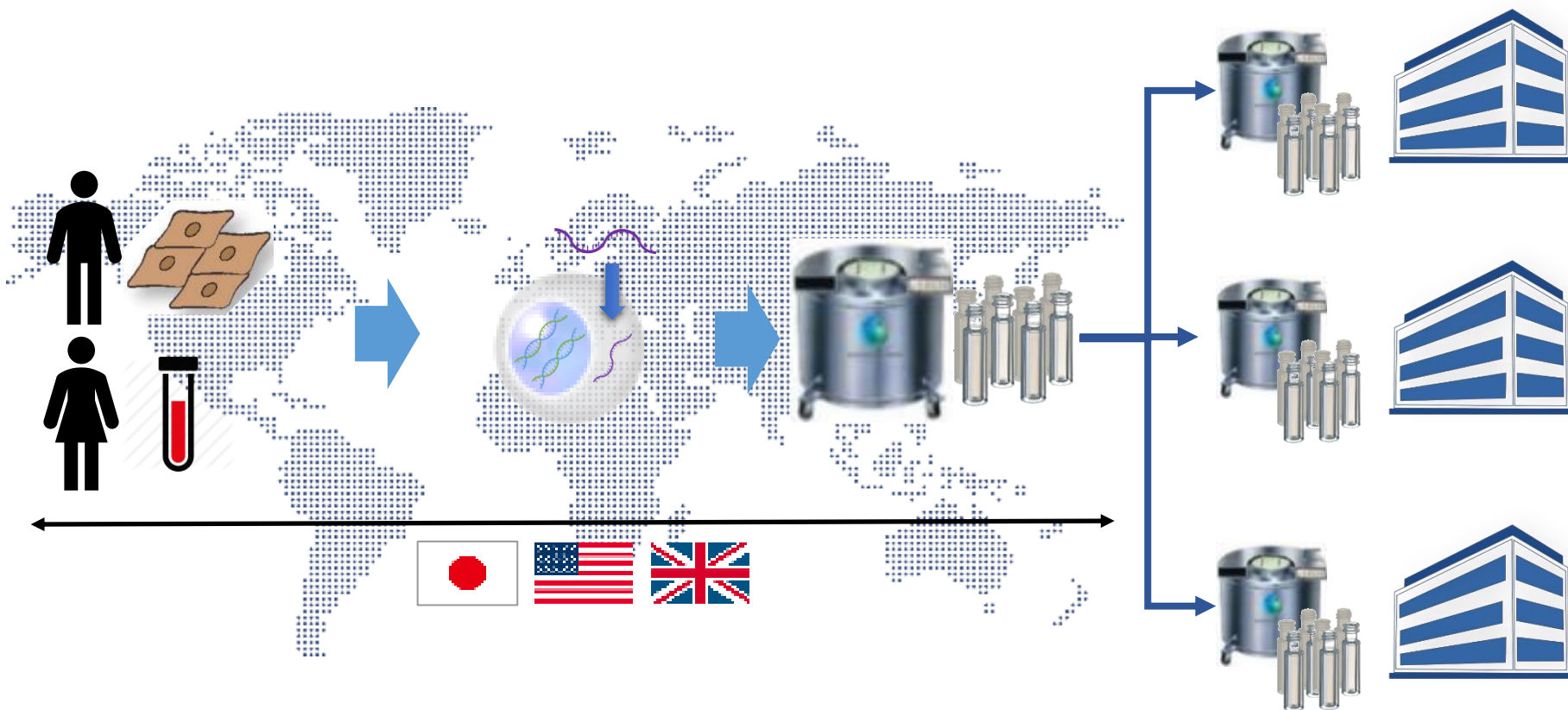
日米等各国の規制に対応した臨床用iPS細胞を製薬企業等に提供します。

組織採取

RNAリプログラミング

Master Cell Bank

商業利用

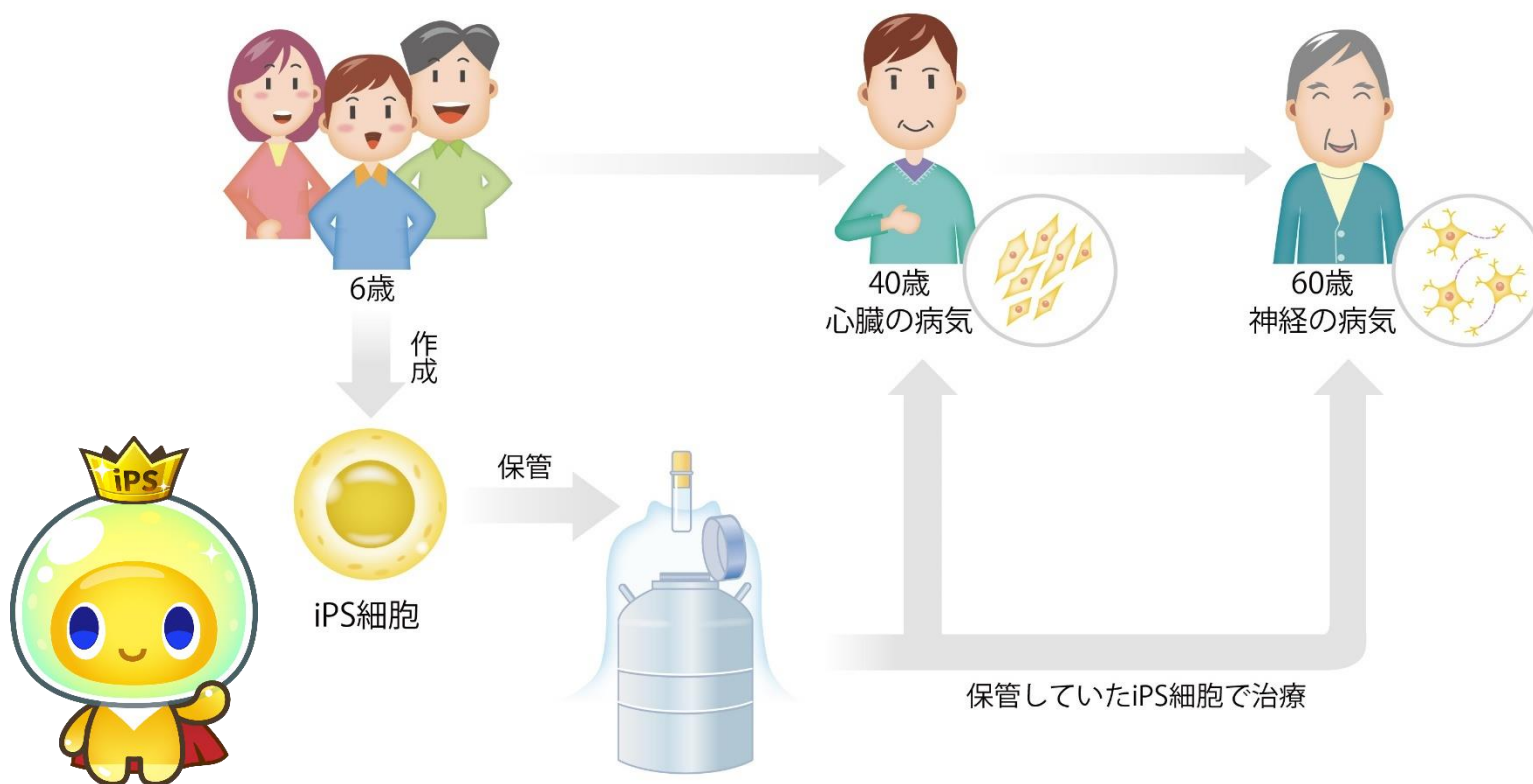


日米欧の製薬企業
バイオベンチャー

パーソナルiPS(個人向け)

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



パーソナルiPS(個人向け)

抜歯済みの不要になった歯、または、尿を用いてパーソナルiPS細胞を作製します。

Personal iPS

新規HPを開設



Personal iPS

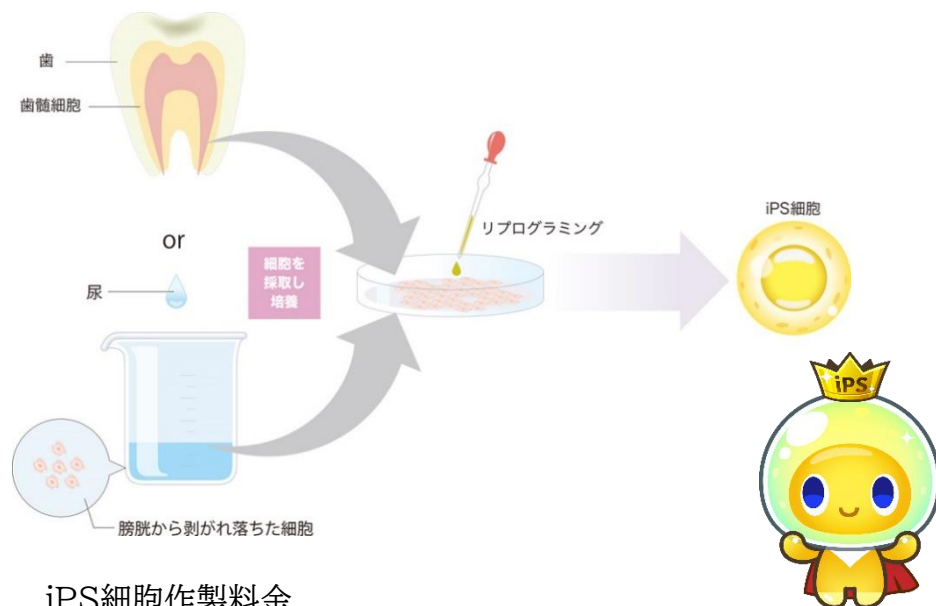
ほくとわたしのiPS

こどもiPS
Personal iPS

将来の治療に 2021年1月～モニターの受付を開始します。詳細はTOPページ下のお知らせをご覧ください

将来への強い保険

若い時期に細胞を採取することで良質なiPS細胞の作成が可能に



iPS細胞作製料金

メニュー	参考価格※
パーソナルiPSデンタル(18歳以上)	1,800,000円
こどもiPSデンタル(18歳未満)	900,000円
パーソナルiPSユーリン(18歳以上)尿	2,200,000円
こどもiPSユーリン(18歳未満)尿	1,200,000円

※iPS細胞作製料金とは別に、細胞保管・品質管理料が必要となります。

1. 2021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. 2021年3月期第2四半期決算概要

連結損益計算書

(単位：百万円)	2020年3月期 第2四半期実績	2021年3月期 第2四半期実績	増減	主な増減理由
売上高	564	614	+ 50	・ 主に細胞機能測定機器（Axion社製品）販売により前年比+9%
製品売上高	310	372	+62	
役務収益	254	242	△11	
売上総利益	231	235	+4	
販管費	663	737	+73	
研究開発費	194	298	+103	・ ステムカイマル治験費用の増加
その他の販管費	469	439	△29	・ COVID-19に伴う営業活動縮小による広告宣伝費・出張旅費の減少
営業利益又は損失(△)	△432	△502	△69	
営業外損益	△2	136	+139	・ 補助金収入の増加+88百万円 ・ 為替差損の縮小+45百万円
経常利益又は損失(△)	△434	△365	+69	
四半期純利益又は損失(△)	△436	△366	+69	

連結貸借対照表

(単位：百万円)	2020年3月末		2020年9月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	5,730	87%	5,530	88%	△200
うち、現金及び預金	4,585	70%	3,858	61%	△727
うち、有価証券	600	9%	1,000	16%	+400
固定資産	822	13%	769	12%	△53
うち、無形固定資産	42	1%	37	1%	△5
うち、投資有価証券	537	8%	524	8%	△13
総資産	6,553	100%	6,300	100%	△253
流動負債	406	6%	512	8%	+106
固定負債	87	1%	88	1%	+1
純資産	6,058	92%	5,700	90%	△358
負債及び純資産	6,553	100%	6,300	100%	△253

【現預金及び有価証券】

- 短期商品運用総額が4億円増加したことにより、現金及び預金△4億円、有価証券+4億円

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>