

東証JASDAQ 4978

株式会社リプロセル

2021年3月期第4四半期

決算説明会

2021年6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以降回復し、通年で対前年比**7.2%増**となりました。ワクチンの接種が世界各国で進んでおり、今後、経済活動は回復すると予想しております。ただし、各国の感染状況やワクチン接種状況は、依然不透明な部分が多く、今後とも新型コロナウイルスの影響が継続する可能性もあります。

- **研究支援事業**

2021年3月期は、顧客先である日米欧の大学/製薬企業において、研究活動が制限されていましたが、最近では再開の動きが出ております。

- **メディカル事業**

これまで、STEM細胞の治験及び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。

2021年3月期の事業進捗まとめ



研究支援事業

- 研究製品、研究受託サービスに加え、新たに研究機器の販売を開始しました。
- 新型コロナウイルス患者の生体試料の提供を開始しました。

メディカル事業

- ステムカイマルの第II相臨床試験は順調に進み、2021年5月に全被験者への投与が完了しました。
- 新規事業として、GMP-iPSマスターセルバンク、パーソナルiPSを開始しました。
- 新規事業として、新型コロナウイルスPCR検査、無侵襲型出生前検査(インド)、がんのコンパニオン診断(インド)を開始しました。
- 殿町・リプロセル再生医療センターが特定細胞加工物製造許可(施設番号FA3200006)を取得しました。

1. 2021年3月期第4四半期事業進捗

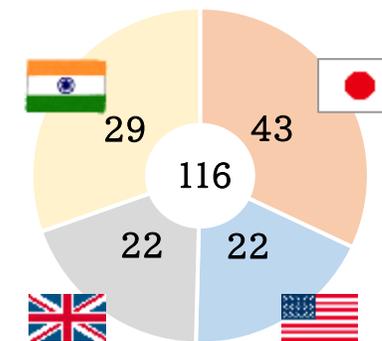
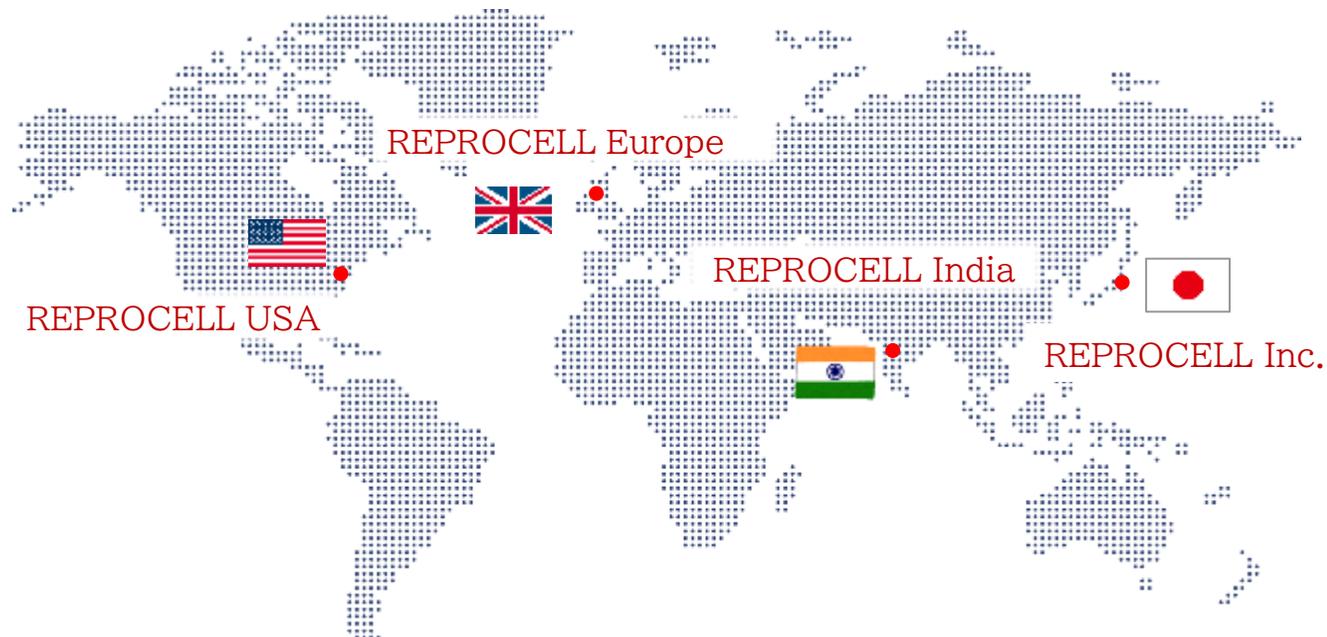
- 事業概要と成長戦略
- 研究支援事業
- メディカル事業

2. 2021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
2021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



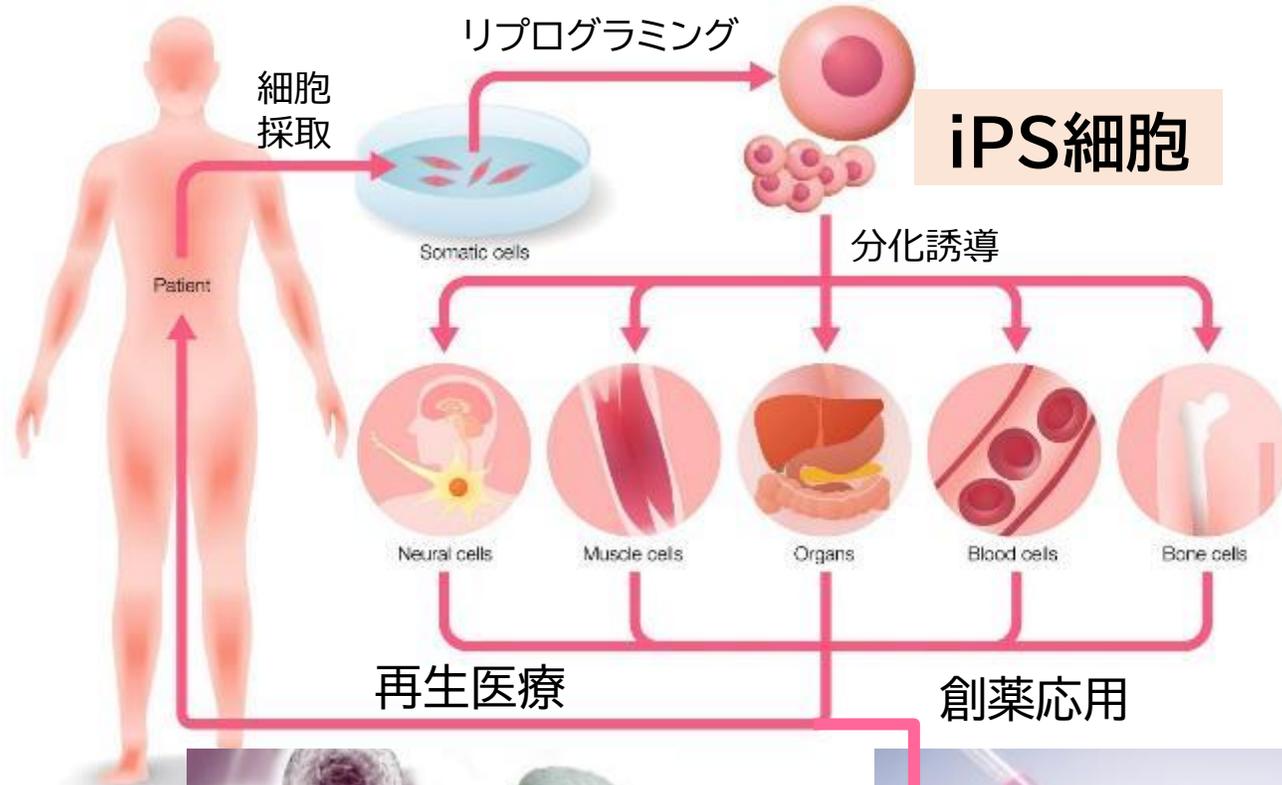
インド:ハイデラバード



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連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細胞とビジネスモデル



- 再生医療
- GMP-iPS細胞
- パーソナルiPS
- 臨床検査



メディカル事業



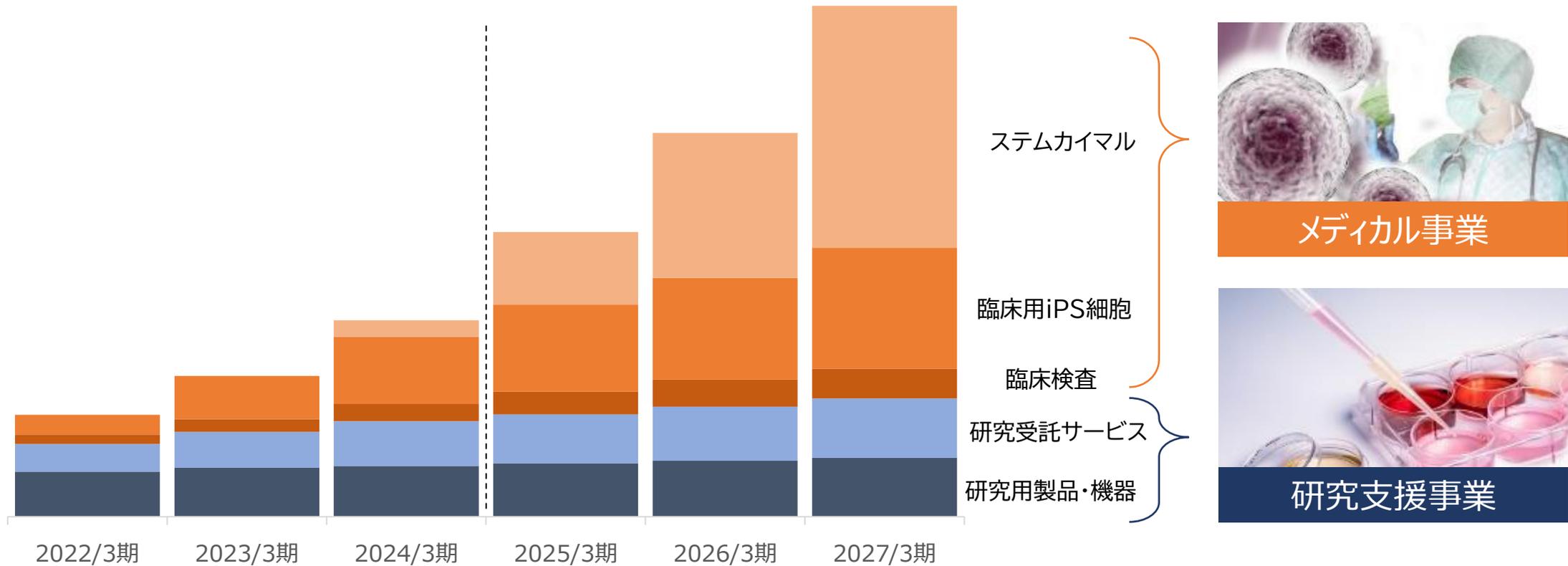
研究支援事業

- 研究試薬
- 細胞供給
- 受託サービス
- 研究機器

事業成長イメージ(2027/3期まで)

2024/3期まで :新規事業である臨床用 iPS 細胞および臨床検査を大きく伸ばし、メディカル事業を研究支援事業と同レベルまで成長させることにより黒字化を目指します。

2025/3期以降:STEMカイマルの承認により飛躍的な成長を目指します。



iPS技術プラットフォーム

研究支援事業で培った「iPS技術プラットフォーム」をメディカル事業に応用し、革新的な新規事業を生み出します。



世界的な研究ネットワーク



1. 2021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. 2021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。



研究支援事業

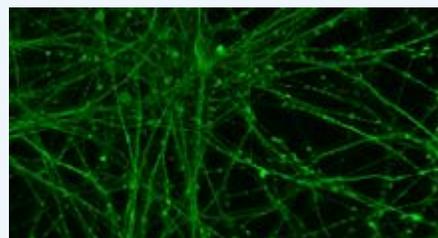
大学/製薬企業等に、「研究製品」、「研究受託サービス」、「研究機器」をトータルに提供しております。

研究製品



- iPS研究試薬
- iPS細胞
- 生体試料
- 研究消耗品

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

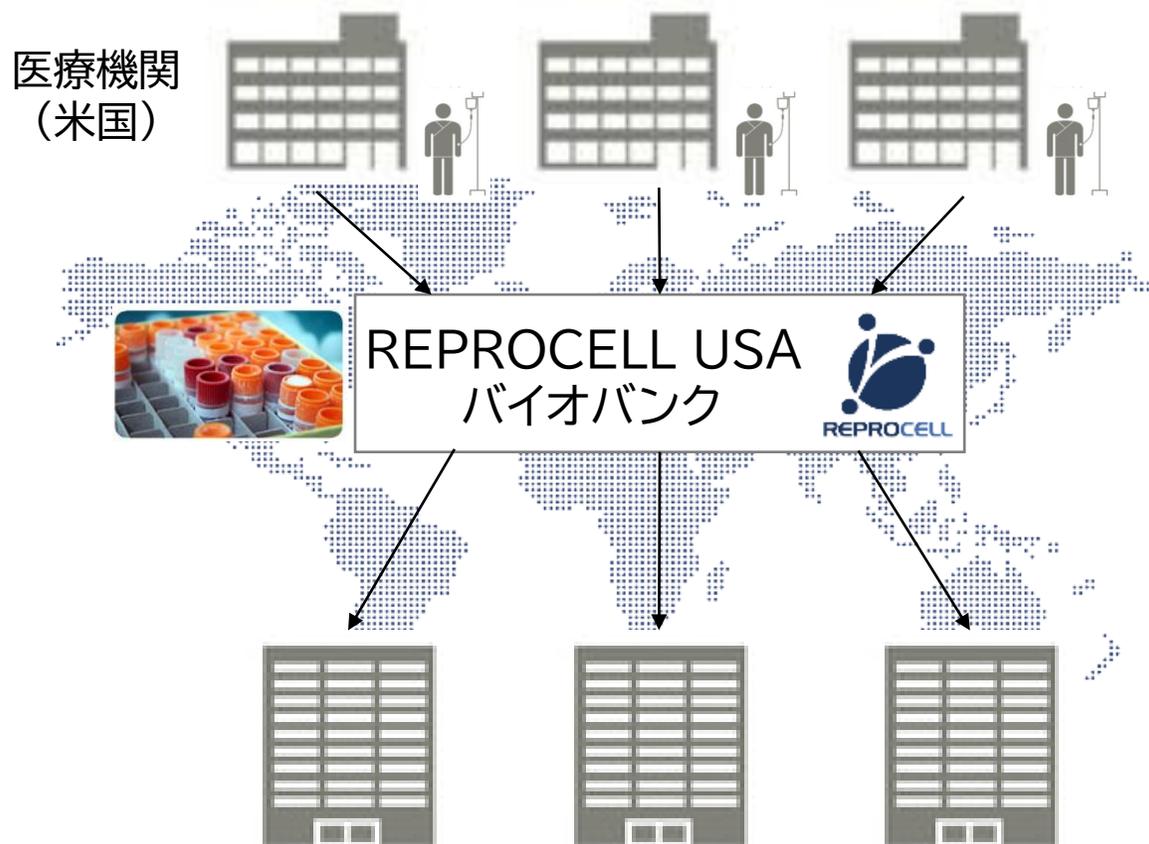
研究機器



- 電気生理測定
- インピーダンス測定
- シングルセル解析

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。



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

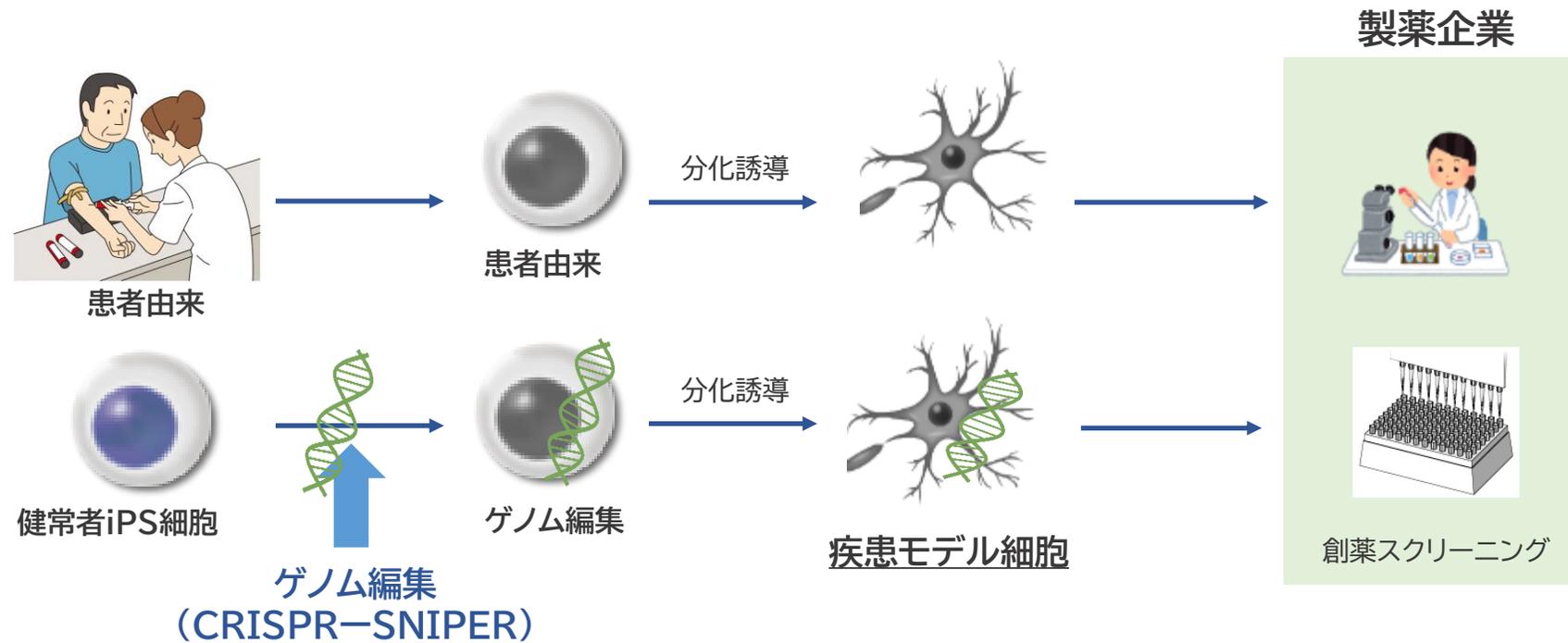
■ ご提供可能な生体試料

- ・ 全血
- ・ 血清
- ・ 血漿

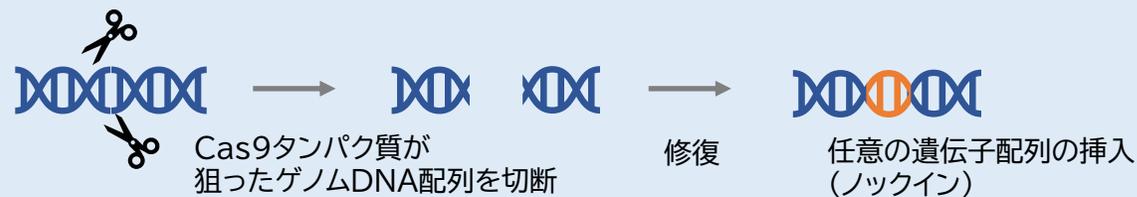
※ 患者の治療中/治療後の生体使用の
提供が可能です。

iPS細胞の創薬応用：疾患モデル

創薬スクリーニング用の疾患iPSモデル細胞を製薬企業等に提供しております。

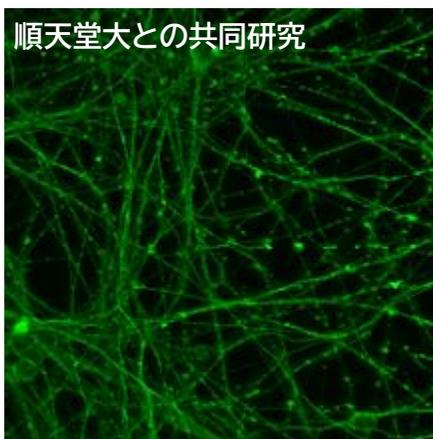


 GenAhead Bio

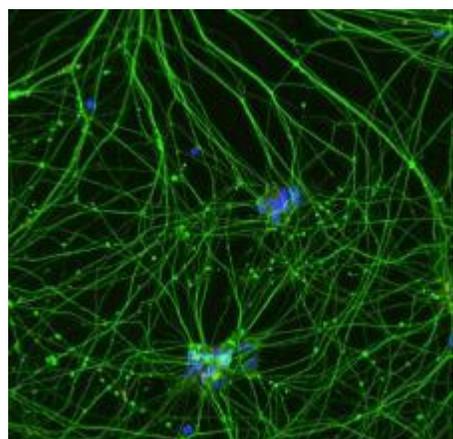


iPS細胞の創薬応用：分化細胞

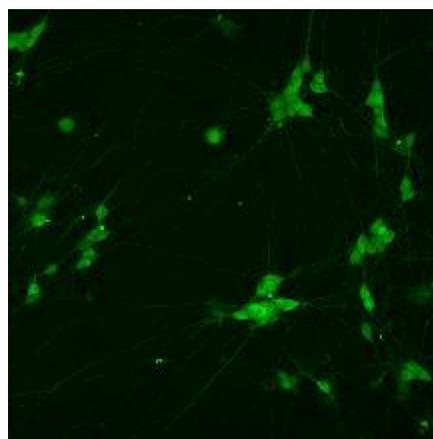
iPS細胞から様々な細胞を作製する技術を有しており、付加価値の高いサービスを提供しております。



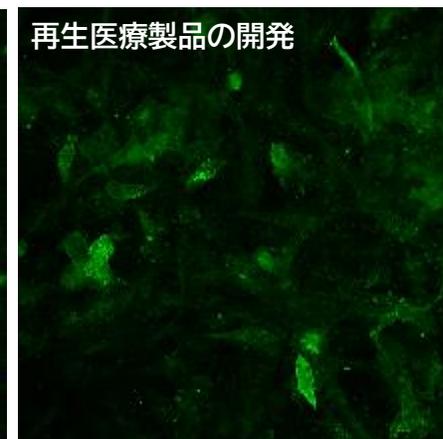
中枢神経細胞



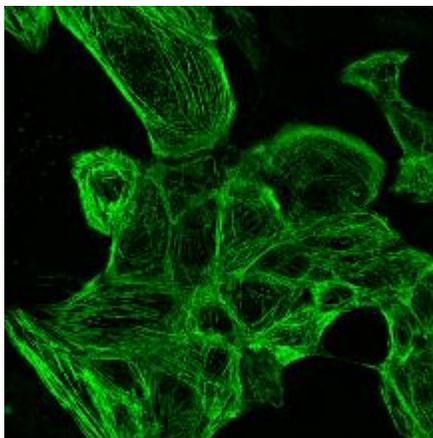
運動神経細胞



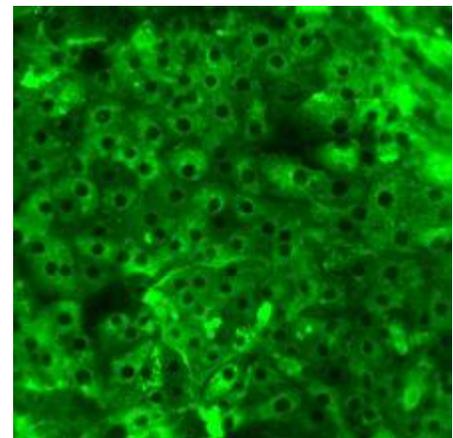
感覚神経細胞



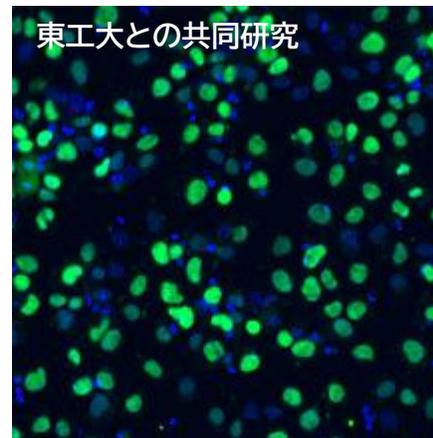
神経グリア細胞



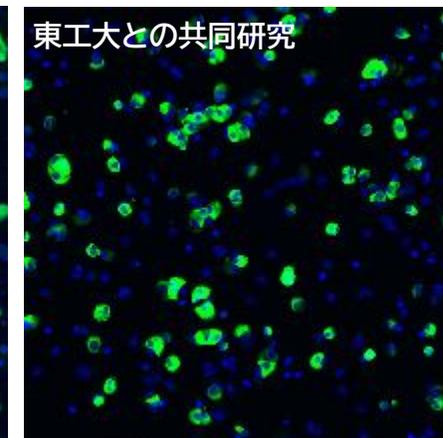
心筋細胞



肝細胞



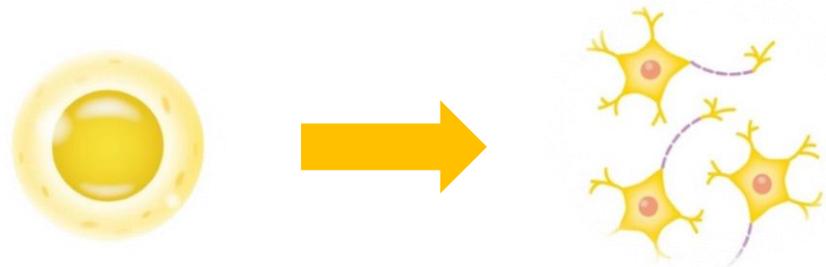
小腸細胞



膵臓細胞

遺伝子改変アルツハイマー病モデル細胞

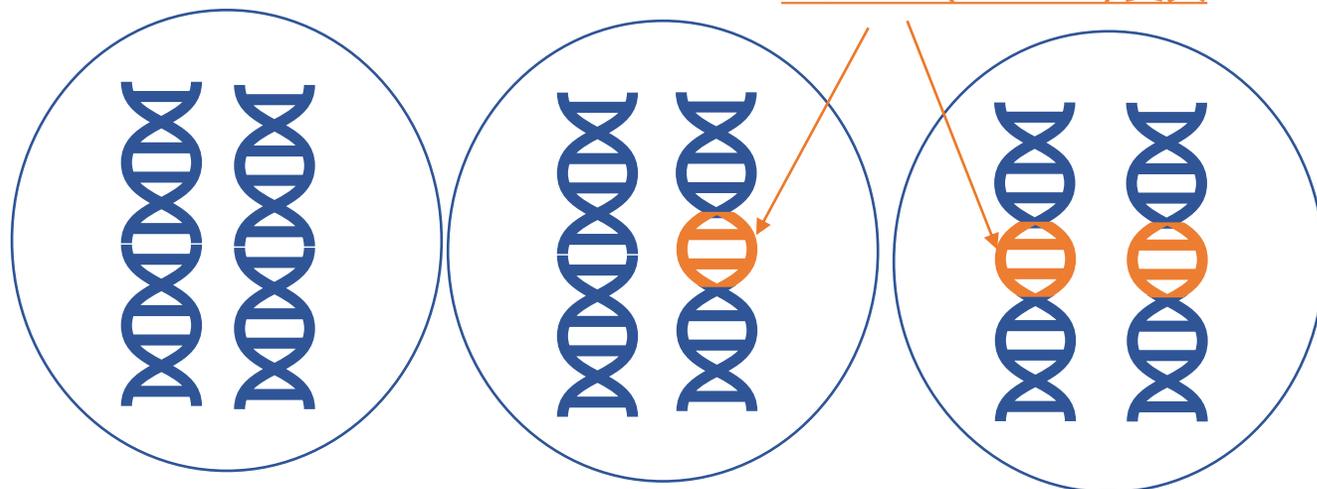
原因遺伝子を導入することでアルツハイマー病の病態を再現



遺伝子改変iPS細胞

遺伝子改変神経細胞

PSEN1(P117L)変異

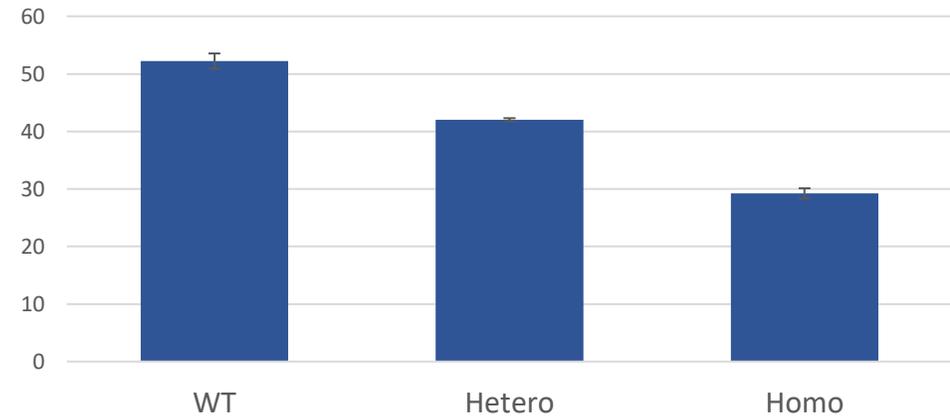


未改変

ヘテロ株

ホモ株

A β 40 (pmol/L)

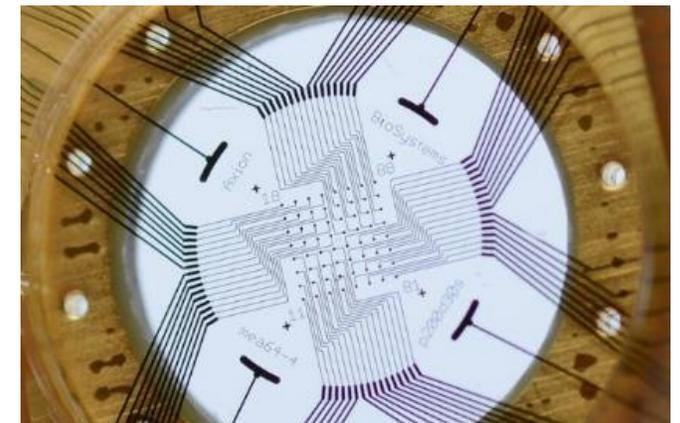
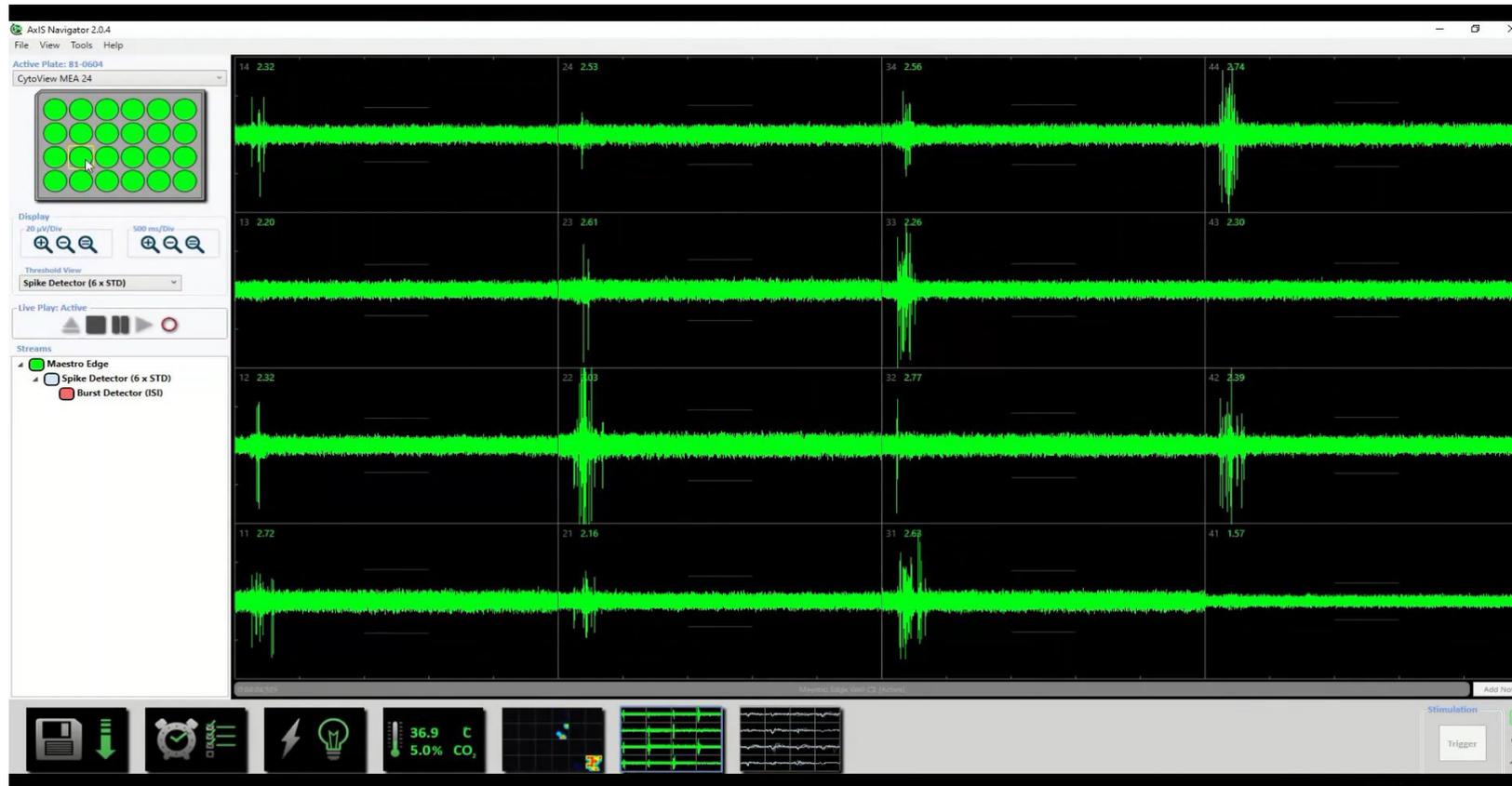


A β 42 (pmol/L) アミロイド β 42



MAESTROによるiPS神経細胞の電位測定

細胞を生きたまま、神経細胞のネットワーク形成を観測することができます。最大96wellに対応しているので、多くの細胞を測定できます。



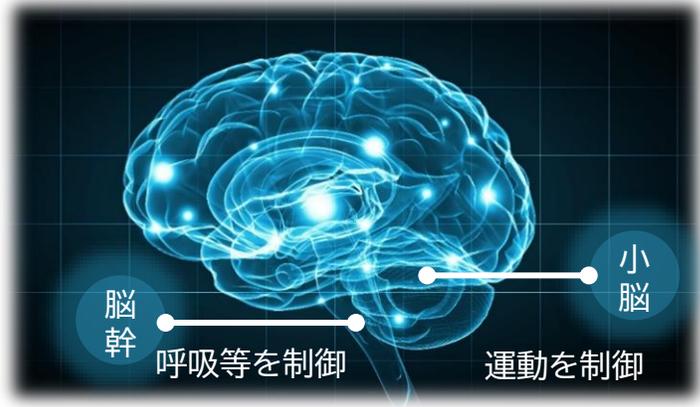
MAESTRO Pro/Edge

1. 2021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. 2021年3月期第4四半期決算概要

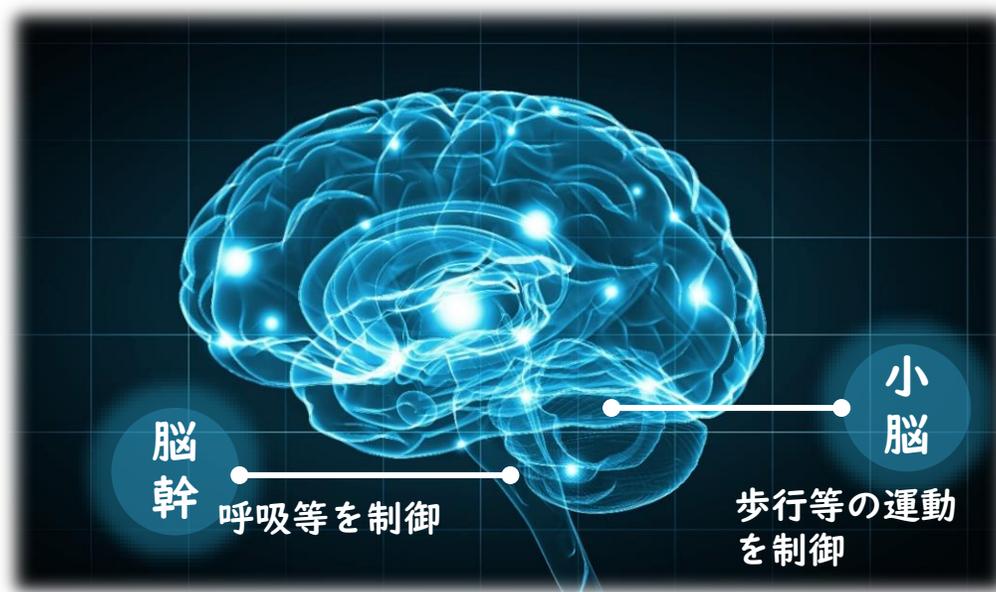
リプロセルの再生医療製品

名 称	ステムカイマル (脂肪由来幹細胞) 	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
対象疾患	脊髄小脳変性症 	各種神経系疾患 <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  故ホーキング博士
地 域	日本	日本、他
開発ステージ	第II相臨床試験 2021年5月:全被験者投与完了	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いう原因不明の疾患です。

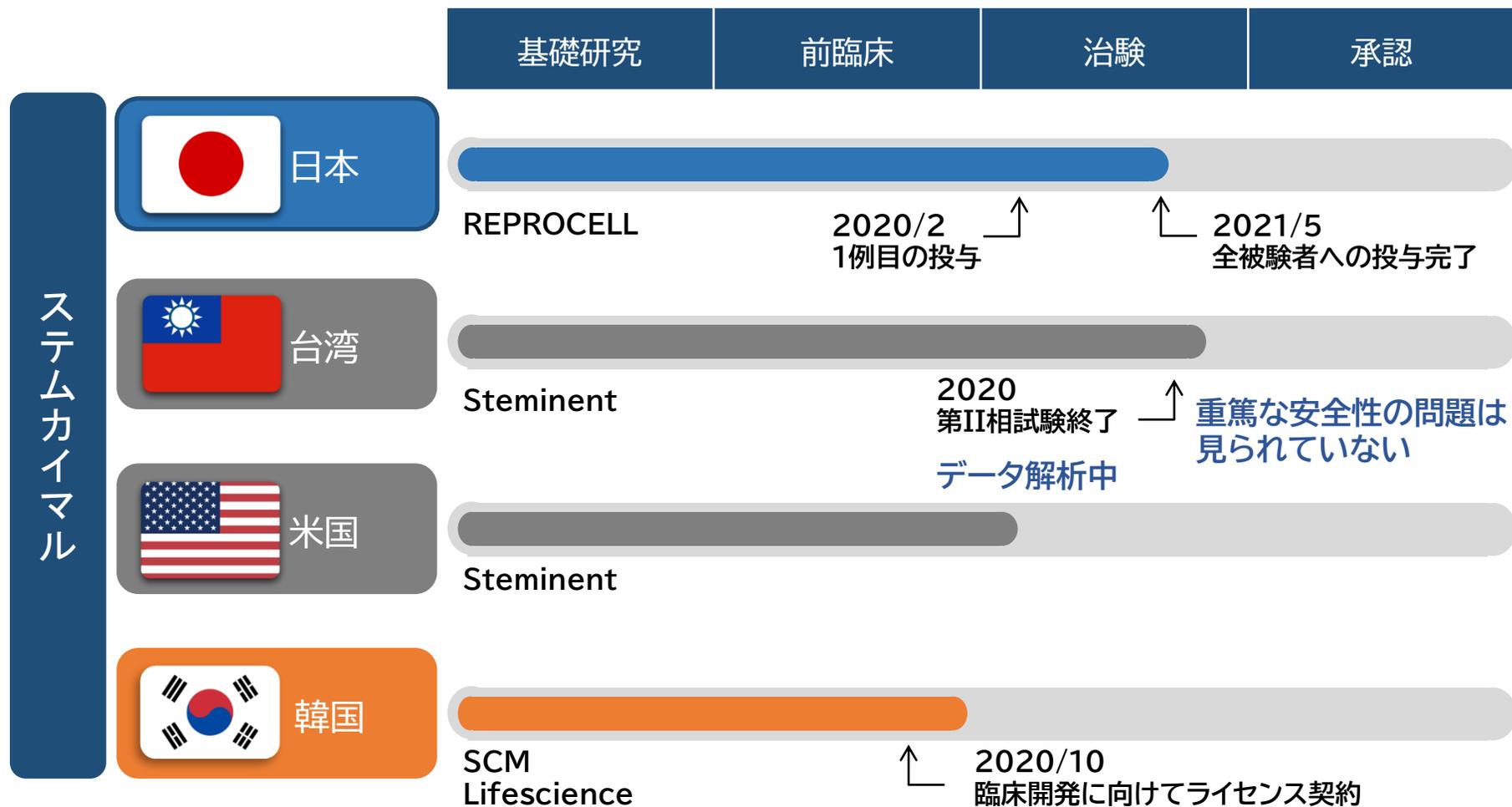
国内患者数は約30,000人(約4,000人に1人)の希少疾患であり、20歳前後から60歳前後まで幅広い年齢で発病することが知られています。



既存薬の国内年間売上は
約180億円

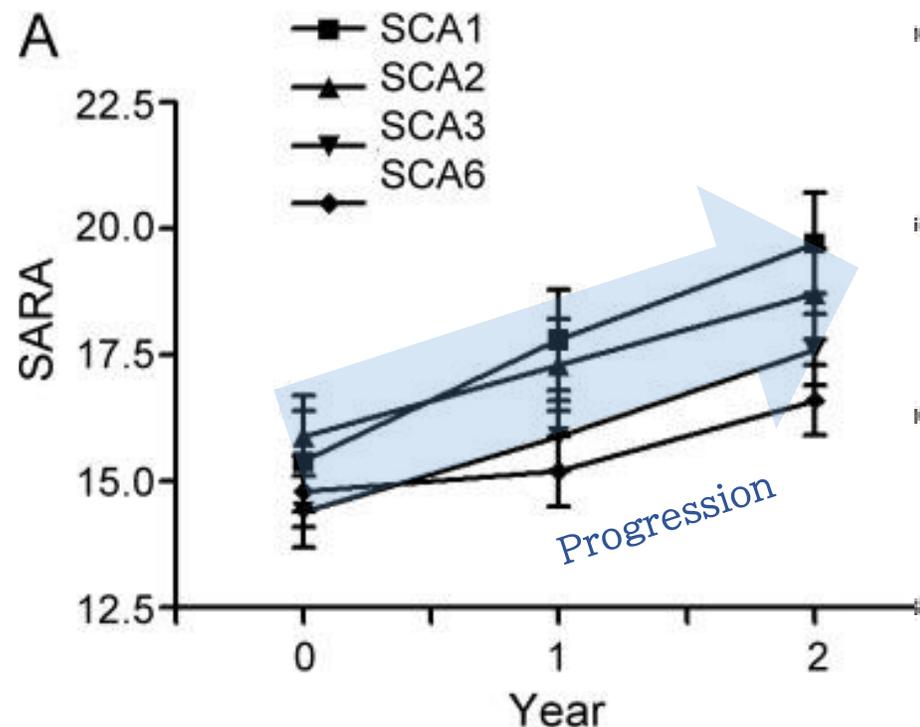
ステムカイマルの臨床試験の進捗状況

日本では2021年5月に全被験者への投与を完了しております。
台湾では、第II相試験が終了しデータの解析中となります。重篤な安全性の問題は見られておりません。

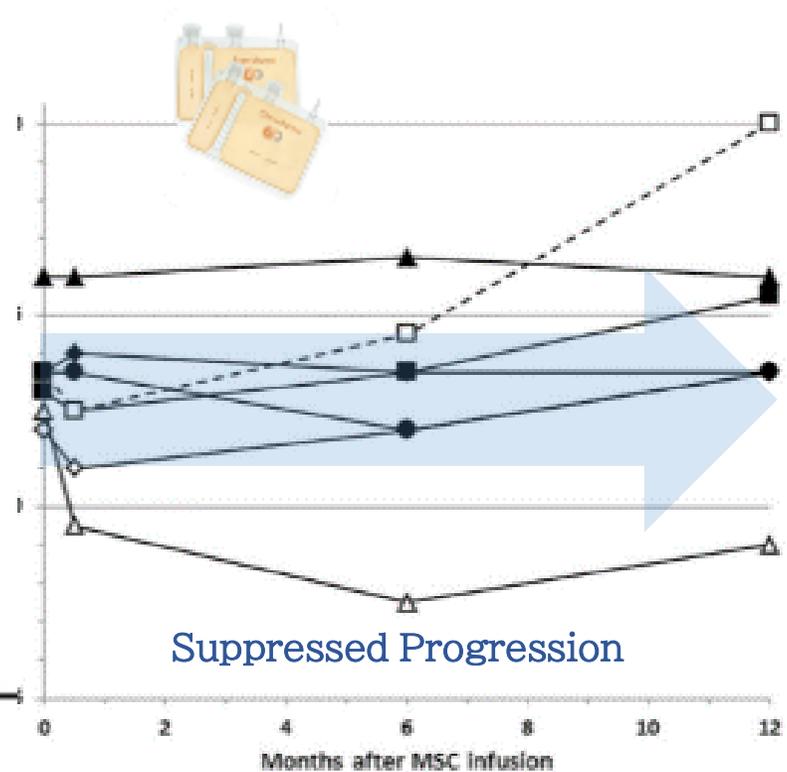


ステムカイマルの第I相臨床試験(台湾)

台湾の第I相臨床試験では、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ザインにしております

治験概要 (治験実施計画書番号:RS-01)

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

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
※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



ステムカイマルの第2相臨床試験の進捗状況

- 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
- 2021年5月 全被験者への投与完了



100%完了
(2021年5月)

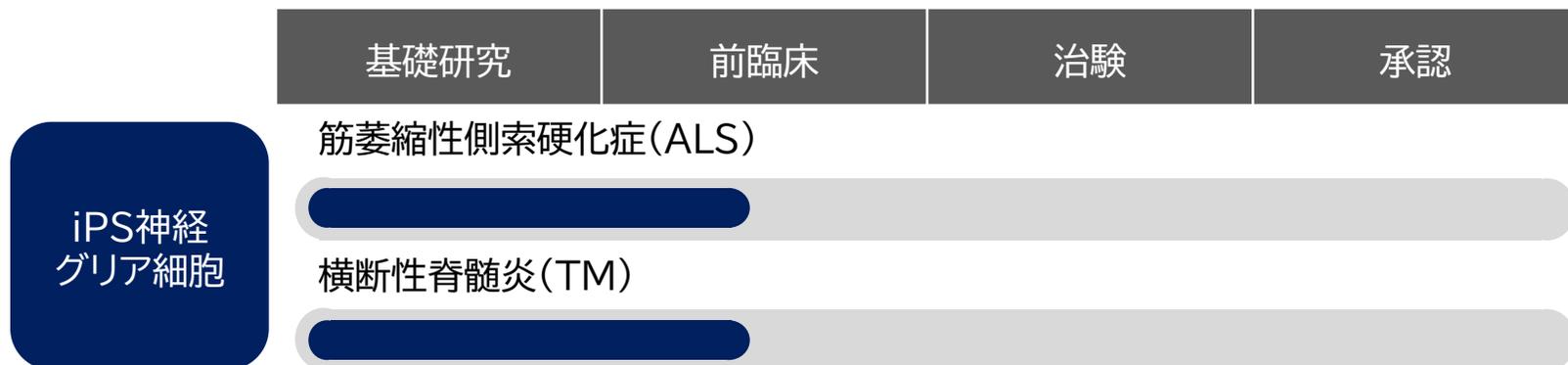
治験実施医療機関

- 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。



再生医療製品:iPS神経グリア細胞

筋萎縮性側索硬化症(ALS)

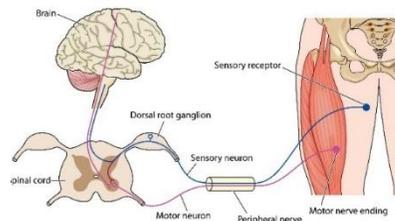
体を動かすための神経系(運動神経)が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感は正常であり、知能の低下もありません。

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



出所:難病情報センター、NIH Webサイトを参考に当社作成

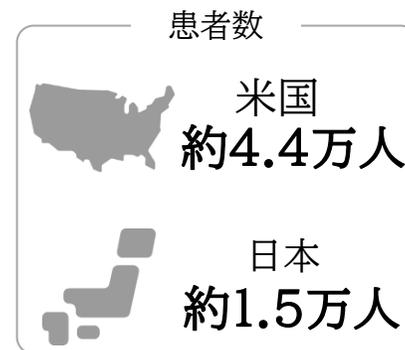
横断性脊髄炎(TM)

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。



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



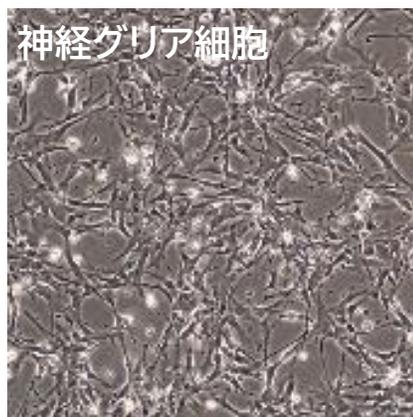
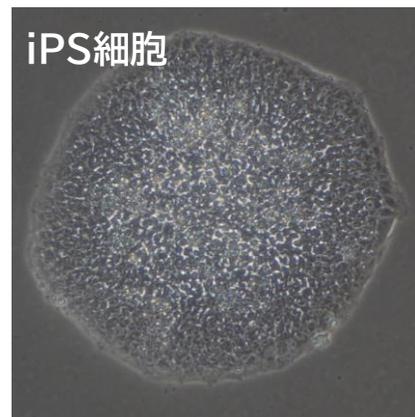
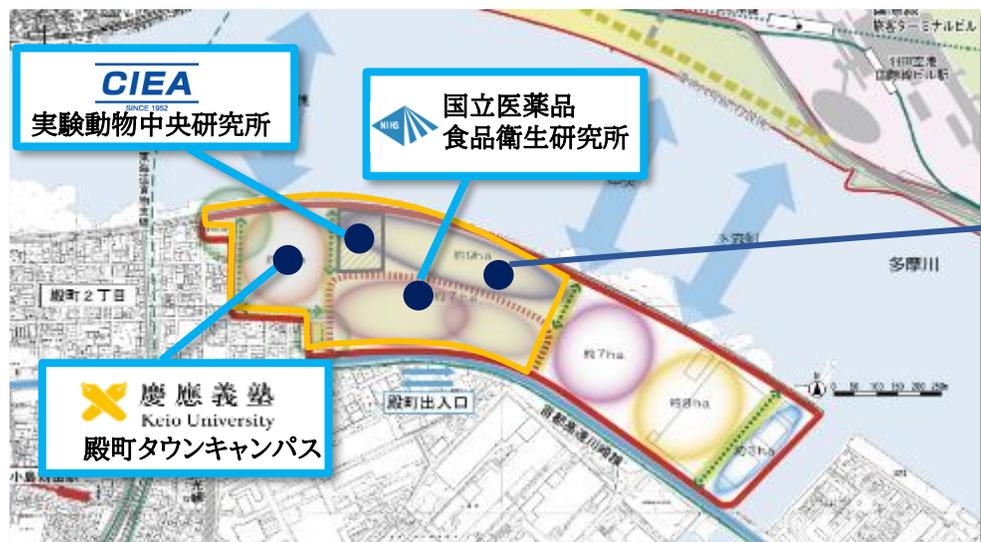
ALS、横断性脊髄炎だけでなく、将来、様々な神経変性疾患への適用拡大を目指します。

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

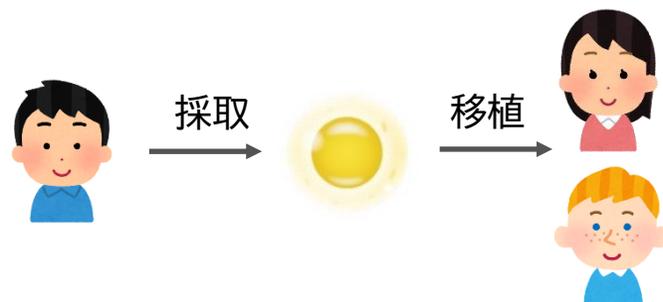
特定細胞加工物製造許可施設

殿町・リプロセル再生医療センターが特定細胞加工物製造許可(施設番号FA3200006)を取得しました。

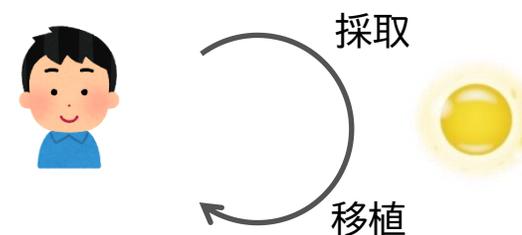


殿町・リプロセル再生医療センター

GMP-iPS細胞 (製薬企業向け)



パーソナルiPS (個人向け)

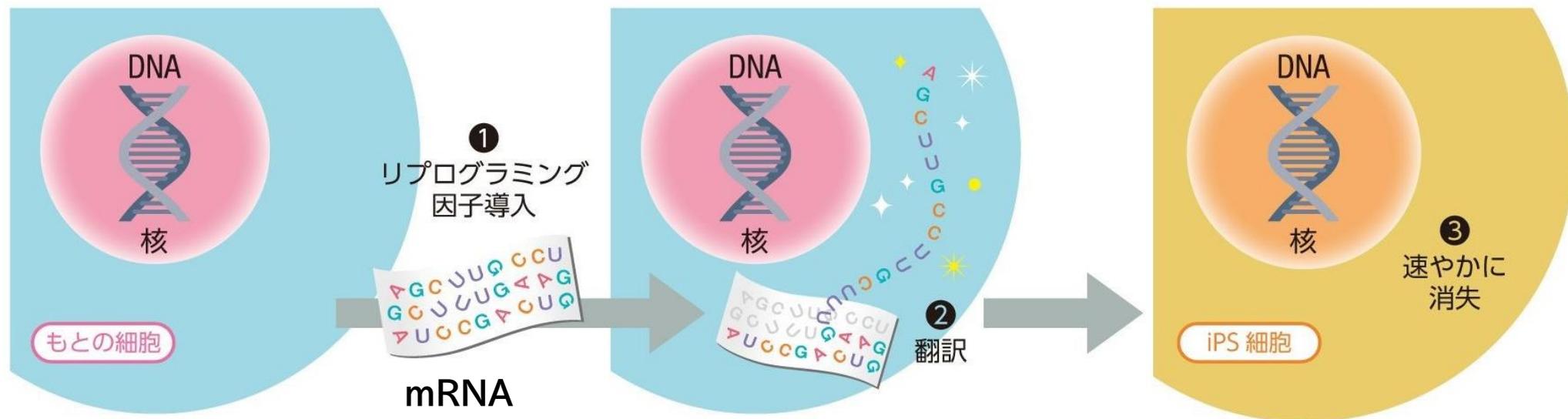


対象顧客	製薬企業、バイオ企業	個人
用途	他家細胞(他人の細胞)移植	自家細胞(本人の細胞)移植
免疫拒絶	基本的に免疫拒絶はあるが、移植部位により拒絶の強度は異なる	免疫拒絶の問題は回避できる
医療コスト	細胞を大量製造することによりコスト削減可能	他家移植に比べ高価になる可能性が高い。但し、パーソナルiPSでは適切なコストを実現
リプログラミング方法	RNAリプログラミング法	RNAリプログラミング法

RNAリプログラミングの技術優位性

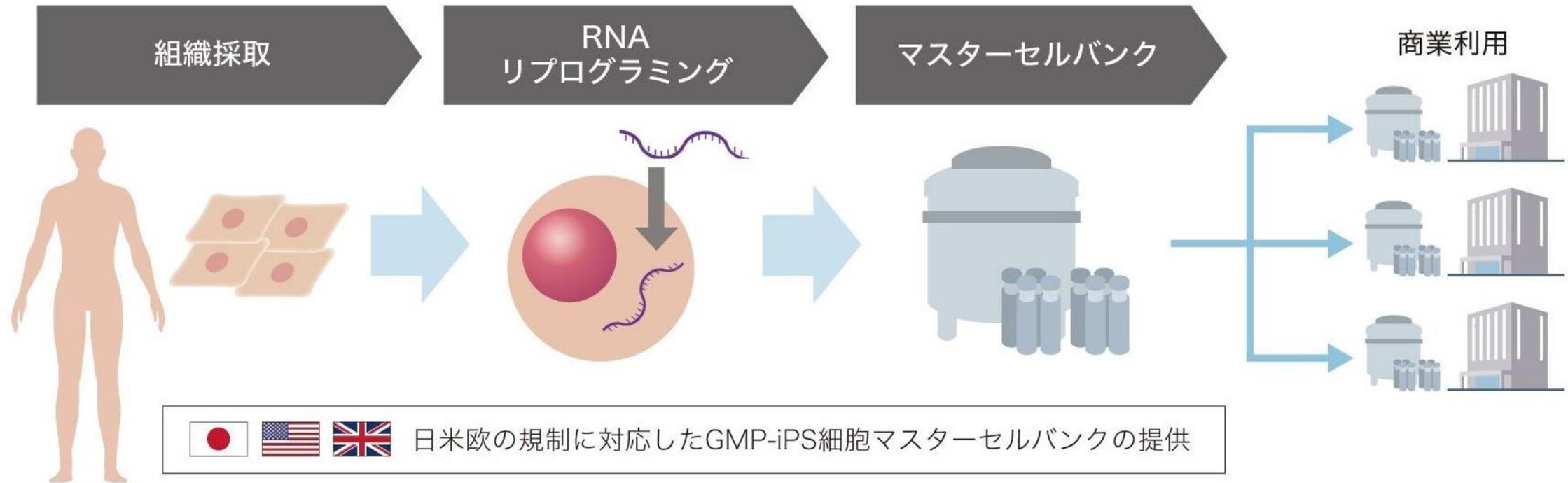
RNAリプログラミング

- ① mRNAは核内に入らないので元のDNAに変異を生じさせない
- ② mRNAは速やかに消失し、iPS細胞内に残存しない



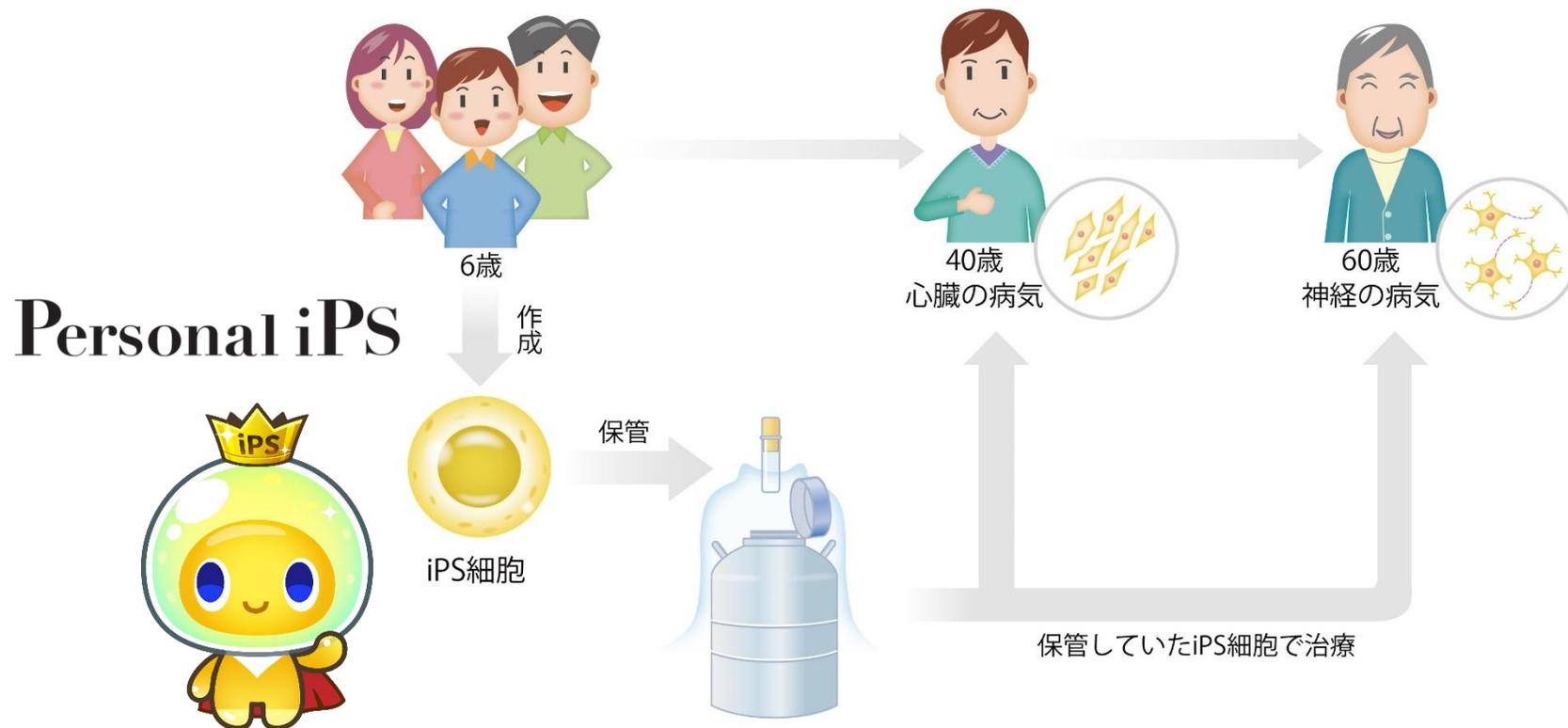
GMP-iPS細胞マスターセルバンク(製薬企業向け)

日米欧の規制に対応したGMP-iPS細胞マスターセルバンクを製薬企業等に提供します。



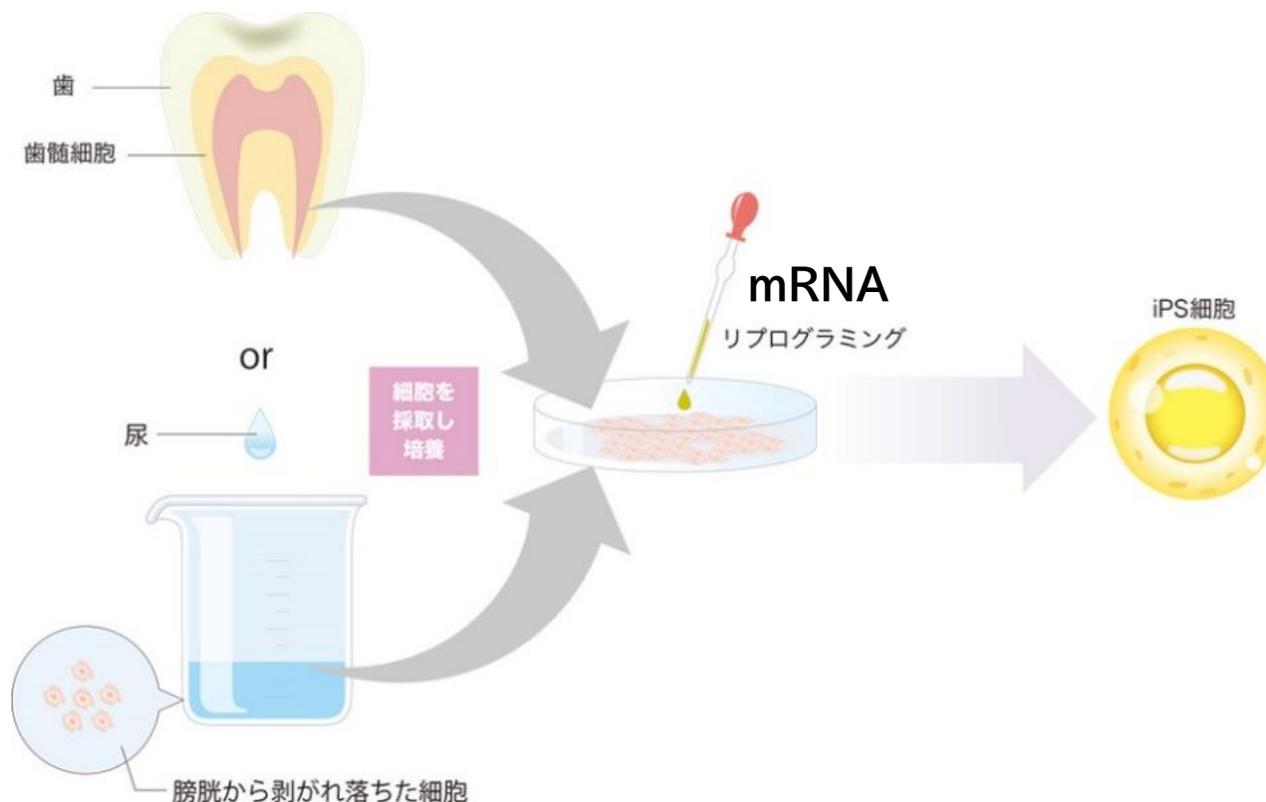
パーソナルiPS(個人向け)

パーソナルiPSは、個人向けの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。



パーソナルiPS(個人向け)

抜けた歯・尿から個人のiPS細胞を作製します。
2021年1月よりモニター募集開始。4月より有償サービス開始。



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。

新型コロナウイルスPCR検査

高精度のPCR検査+変異株の同定検査をセットで提供しています。
2021年3月より開始。



変異株を見逃さず・特定する
新型コロナウイルス
郵送PCR検査

1検体から(往復郵送料込み)

PCR検査+変異株特定検査セット特別価格

検査費用：**5,800円**(税込6,380円)

国内用検査結果証明書は+1,100円(税込)となります
※法人価格は別途お見積もりいたします



N501Y (-)
E484K (-)
HV69/70d(-)

従来株

N501Y (+)
E484K (-)
HV69/70d(+)

イギリス株

N501Y (-)
E484K (+)
HV69/70d(-)

E484K

1. 2021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. 2021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)	2020年3月期 実績	2021年3月期 実績	増減	主な増減理由
売上高	1,199	1,286	+86	・ 細胞機能測定機器と生体試料の販売増により前年比+7%
製品売上高	656	795	+139	
役務収益	543	490	△53	
売上総利益	474	482	+8	
販管費	1,383	1,530	+147	
研究開発費	454	662	+207	・ ステムカイマル治験費用の増加
その他の販管費	928	868	△60	・ コロナウイルスの影響により営業活動が縮小
営業利益又は損失(△)	△908	△1,048	△139	
営業外損益	17	259	+242	・ 補助金収入の増加+112百万円 ・ 為替差損益+86百万円
経常利益又は損失(△)	△891	△788	+103	
当期期純利益又は損失(△)	△1,016	△811	+203	・ 前期インド減損損失+115百万円 ・ 当期イギリス減損損失△23百万円

連結貸借対照表

(単位:百万円)	2020年3月末		2021年3月末		増減
	金額	構成比	金額	構成比	
流動資産	5,730	87%	5,244	87%	△486
うち、現金及び預金	4,585	70%	2,601	43%	△1,984
うち、有価証券	600	9%	2,000	33%	+1,400
固定資産	822	13%	802	13%	△20
うち、投資有価証券	537	8%	543	9%	+6
総資産	6,553	100%	6,047	100%	△506
流動負債	406	6%	553	9%	+146
固定負債	87	1%	103	2%	+15
純資産	6,058	92%	5,391	89%	△667
負債及び純資産	6,553	100%	6,047	100%	△506

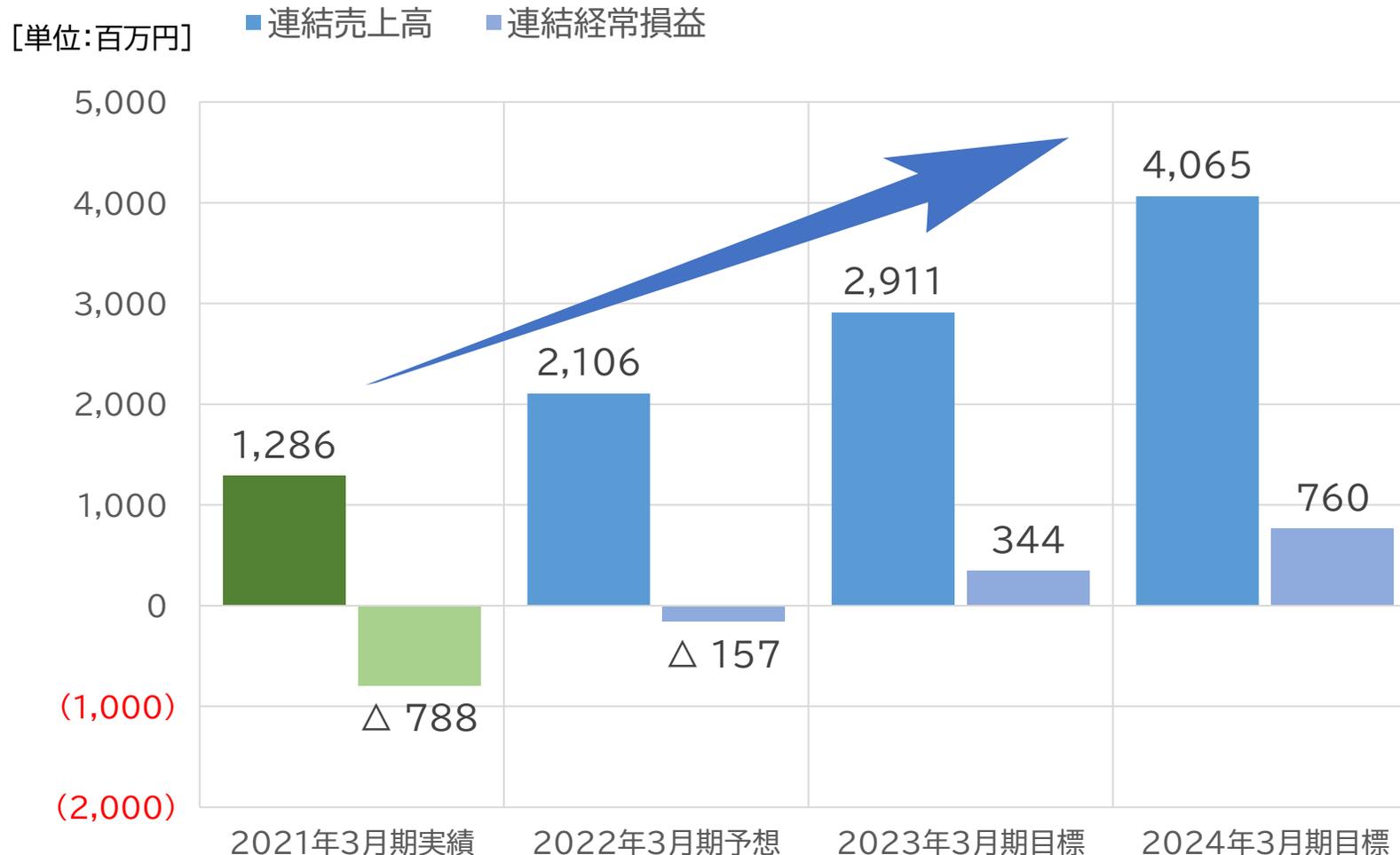
【現預金及び有価証券】

- ▶ 短期商品運用総額が14億円増加したことにより、現金及び預金△14億円、有価証券+14億円

中期経営計画(2022/3期～2024/3期)



メディカル事業を成長ドライバーとして、早期の黒字化を目指します。



臨床用iPS細胞 (GMP-iPS細胞マスターセルバンク、パーソナルiPS) の立ち上げ

臨床検査 (新型コロナウイルスPCR検査、無侵襲型出生前検査、がんのコンパニオン診断検査) の展開

STEMカイマルの治験と承認

第三者割当による第15回新株予約権の発行について



SMBC日興証券を割当先とした、新株予約権の第三者割当の発行を2021年6月1日に決議しました。

➤ 調達予定額: 5,390百万円(差引手取概算額)

具体的な資金用途	金額(百万円)
① ステムカイマル(脊髄小脳変性症)の治験及び承認に係る諸費用	500
② iPS神経グリア細胞の適用拡大に係る費用	750
③ 新規事業であるiPS細胞作製ビジネス(GMP-iPS細胞マスターセルバンク及びパーソナルiPS)の立ち上げに係る費用	600
④ 新規パイプラインの導入及び治験に係る費用	2,490
⑤ 運転資金等	1,050
合計	5,390

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>