

株式会社リプロセル（証券コード：4978）



# 事業計画及び 成長可能性に関する事項

2023年6月



## ① 会社概要

- ② 事業環境
- ③ 研究支援事業
- ④ メディカル事業
- ⑤ 成長戦略
- ⑥ 認識するリスク及び対応策

# 最先端のiPS細胞技術を有する再生医療の会社



**東大・京大発**  
バイオベンチャーとして  
2003年創業

現在は  
米国、英国、インドに  
**グローバル  
展開**

iPS細胞の  
研究開発を下支えする  
製品・サービスを  
**世界中で  
販売**

国内で  
**脊髄小脳  
変性症**  
を対象とする  
再生医療製品の  
臨床試験を実施

**iPS細胞  
による**  
ALSの再生医療治療の  
研究開発を推進

## Induction of Pluripotent Stem Cells from Adult Human Fibroblasts by Defined Factors

Kazutoshi Takahashi,<sup>1</sup> Koji Tanabe,<sup>1</sup> Mari Ohnuki,<sup>1</sup> Megumi Narita,<sup>1,2</sup> Tomoko Ichisaka,<sup>1,2</sup> Kiichiro Tomoda,<sup>3</sup> and Shinya Yamanaka<sup>1,2,3,4,\*</sup>

<sup>1</sup>Department of Stem Cell Biology, Institute for Frontier Medical Sciences, Kyoto University, Kyoto 606-8507, Japan

<sup>2</sup>CREST, Japan Science and Technology Agency, Kawaguchi 332-0012, Japan

<sup>3</sup>Gladstone Institute of Cardiovascular Disease, San Francisco, CA 94158, USA

<sup>4</sup>Institute for Integrated Cell-Material Sciences, Kyoto University, Kyoto 606-8507, Japan

\*Correspondence: yamanaka@frontier.kyoto-u.ac.jp

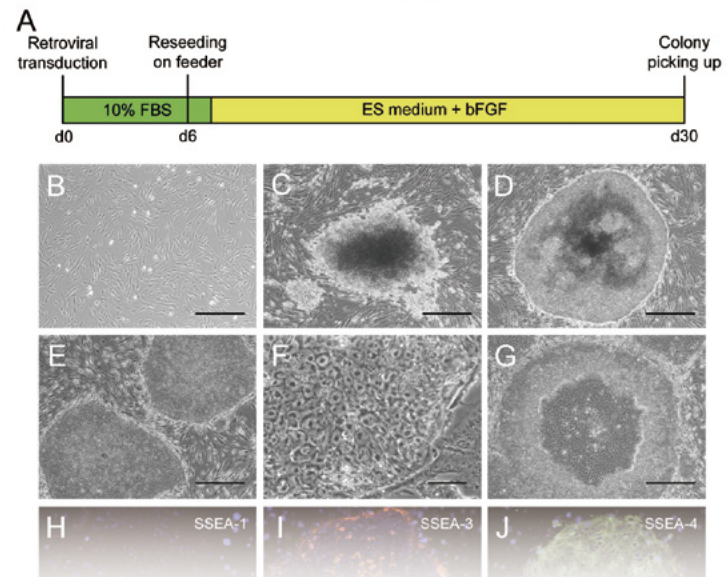
DOI 10.1016/j.cell.2007.11.019

### SUMMARY

Successful reprogramming of differentiated human somatic cells into a pluripotent state would allow creation of patient- and disease-specific stem cells. We previously reported generation of induced pluripotent stem (iPS) cells, capable of germline transmission, from mouse somatic cells by transduction of four defined transcription factors. Here, we demonstrate the generation of iPS cells from adult human dermal fibroblasts with the same four factors: Oct3/4, Sox2, Klf4, and c-Myc. Human iPS cells were similar to human embryonic stem (ES) cells in morphology, proliferation, surface antigens, gene expression, epigenetic status of pluripotent cell-specific genes, and telomerase activity. Furthermore, these cells could differentiate into cell types of the three germ layers in vitro and in teratomas. These findings demonstrate that iPS cells can be generated from adult human fibroblasts.

### INTRODUCTION

Embryonic stem (ES) cells, derived from the inner cell mass of mammalian blastocysts, have the ability to grow indefinitely while maintaining pluripotency (Evans and Kaufman, 1981; Martin, 1981). These properties have led



リプロセルの試薬が、  
山中伸弥教授が世界で初めて  
ヒト iPS 細胞を作製した実験で  
使用されました。



Culture media for iPS cells



3<sup>rd</sup>-Gen Reprogramming kit

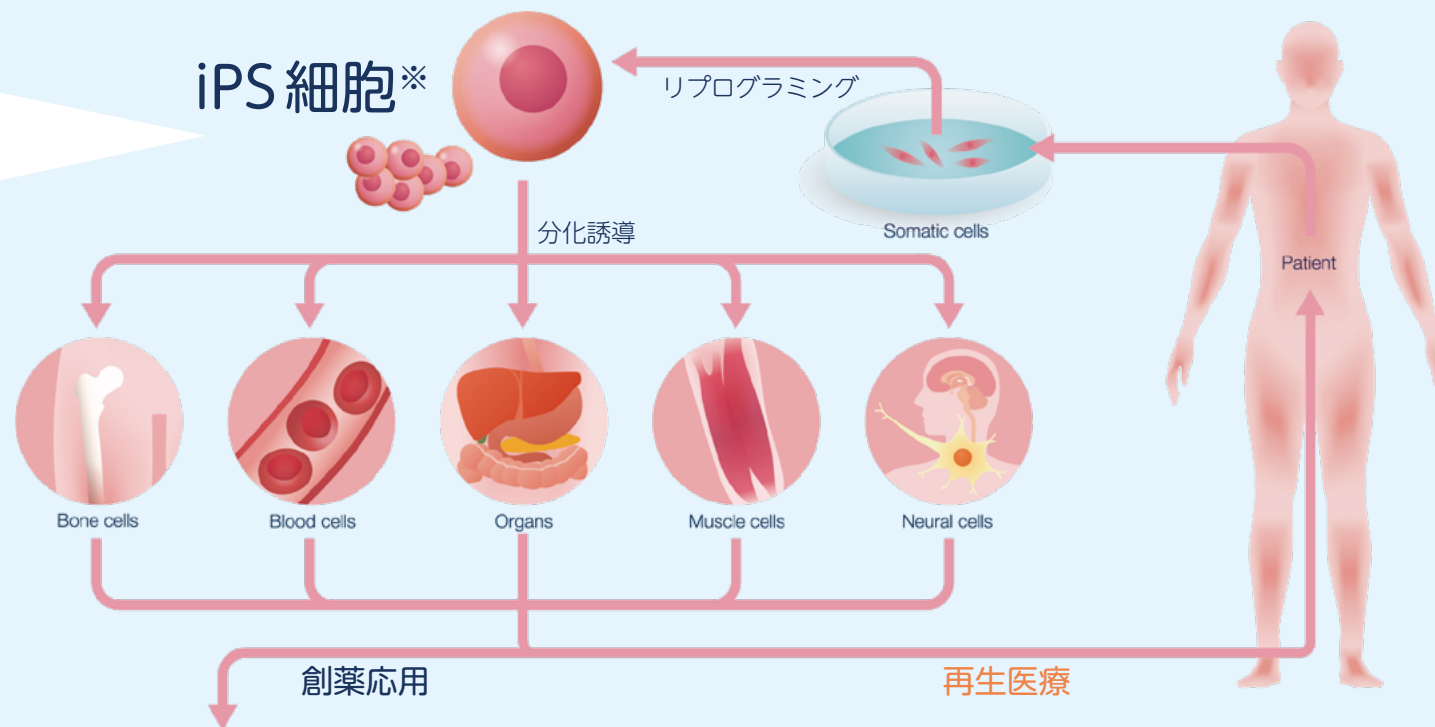
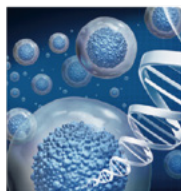
出所: Takahashi, K., Tanabe, K., Ohnuki, M., Narita, M., Ichisaka, T., Tomoda, K., & Yamanaka, S. (2007). Induction of pluripotent stem cells from adult human fibroblasts by defined factors. *Cell*, 131(5), 861-872. <https://doi.org/10.1016/j.cell.2007.11.019>



2007年山中伸弥教授により、  
世界で初めてヒトiPS細胞が  
樹立されました。

(2012年ノーベル医学生理学賞)

iPS細胞は様々な細胞に変化(分化)する  
特殊な能力を有しており、「万能細胞」と  
呼ばれます。iPS細胞から  
作製した様々な細胞  
を用いた再生医療の研究  
開発が世界中で進ん  
でいます。



※当社はiPSアカデミアジャパン(株)と特許権の満了までヒトiPS細胞由来分化細胞の製造・販売、並びに各種受託サービスを実施するための非独占的通常実施権の許諾に関する特許ライセンス契約を締結しております。



### 研究支援事業

- 研究試薬
- 受託サービス
- 細胞供給
- 研究機器



### メディカル事業

- 再生医療
- パーソナルiPS
- 臨床用iPS細胞
- 臨床検査

# iPS 細胞技術プラットフォームと事業セグメント

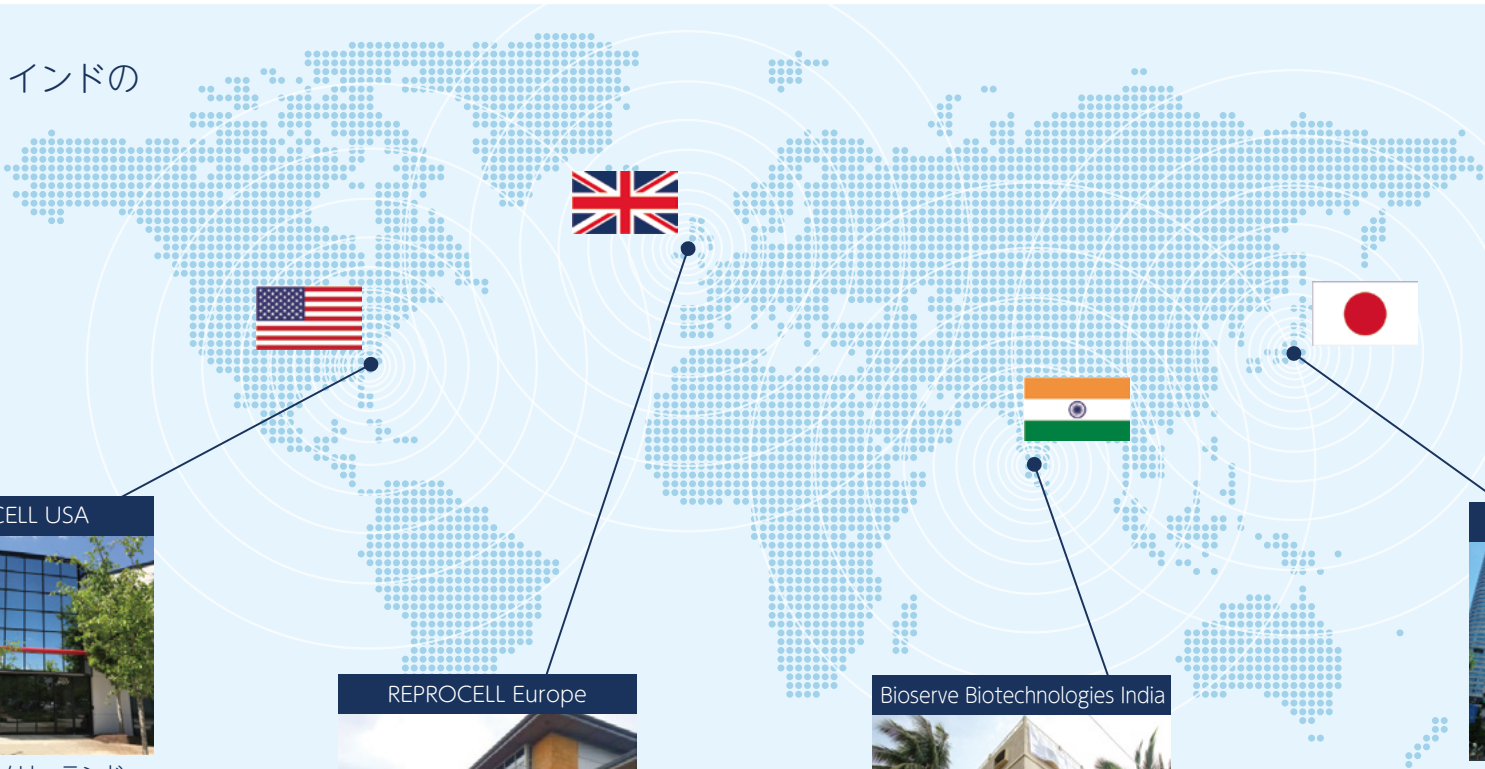
iPS 細胞技術プラットフォームをベースに、研究支援とメディカルの2つのビジネスを展開しています。



# グローバル事業拠点



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。



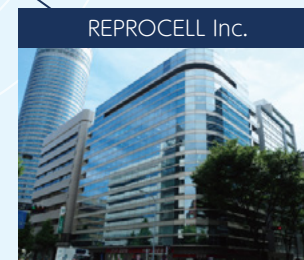
アメリカ/メリーランド



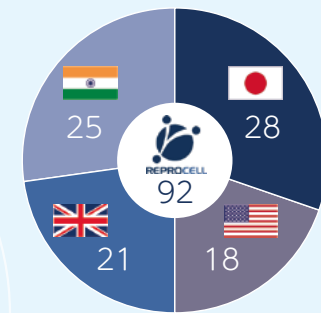
イギリス/グラスゴー



インド/ハイデラバード



本社/新横浜



人員構成  
2023年3月末現在

# 当社の世界的な研究ネットワーク





① 会社概要

## ② 事業環境

③ 研究支援事業

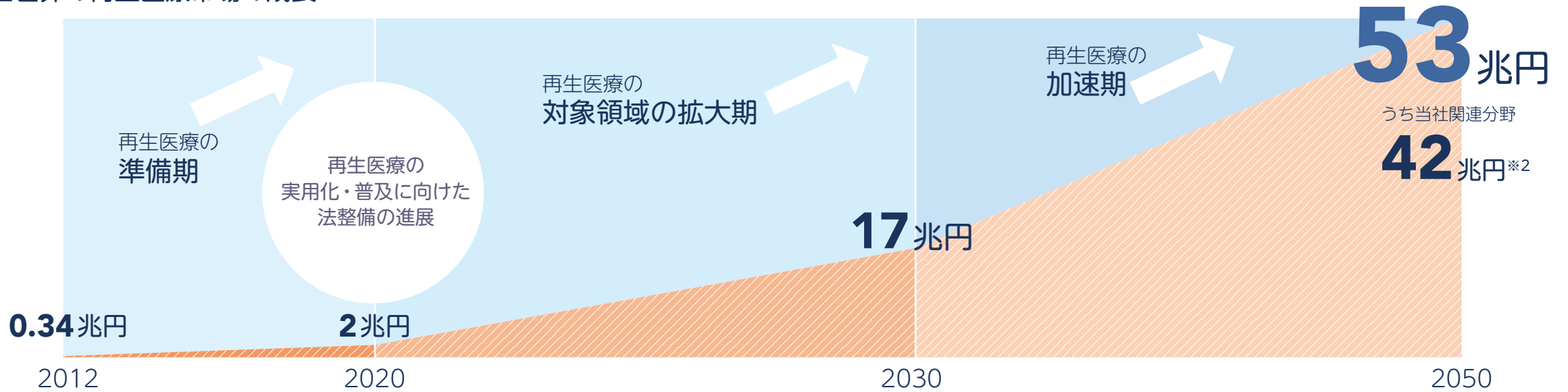
④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策

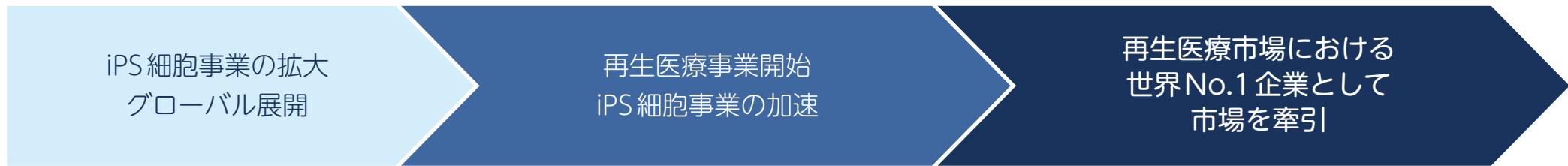
# 再生医療のグローバル市場規模

## ■世界の再生医療市場の成長※1



出所 ※1:経済産業省「再生医療の実用化・産業化に関する研究会の最終報告」  
 ※2:平成 24 年度 中小企業支援調査（再生医療の実用化・産業化に係る調査事務等）報告書

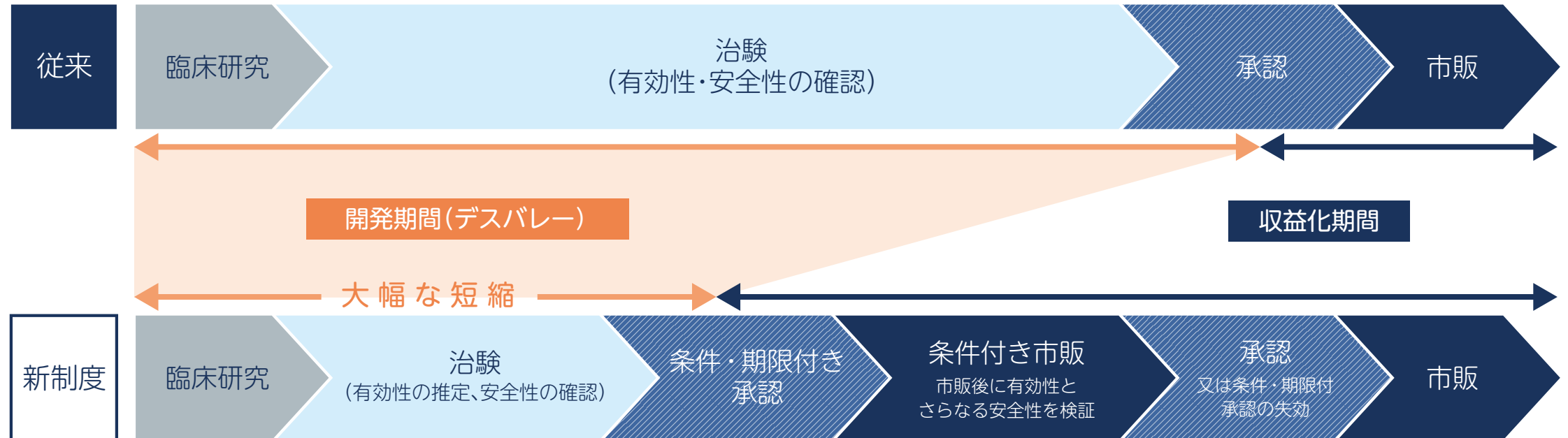
## ■リプロセルグループの長期ビジョン



## 日本における再生医療関連法

2014年11月に施行された改正薬事法により、再生医療等製品の条件及び期限付き製造販売承認制度が導入されました。本制度により、再生医療等製品(細胞医薬品など)は条件及び期限付き承認を得る事で条件付き市販が可能となり、収益化までの「デスバレー」が大幅に短縮されました。

## ■再生医療等製品の実用化に対応した承認制度(条件・期限付き承認)



※厚生労働省「薬事法の一部を改正する法律の概要」を参考に当社作成

① 会社概要

② 事業環境

## ③ 研究支援事業

④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策



大学／製薬企業を対象に「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

生体試料

iPS細胞

研究消耗品

## 研究受託サービス



疾患iPS細胞

薬効薬理試験

遺伝子編集

遺伝子解析

iPS分化細胞

## 研究機器



電気生理測定

インピーダンス測定

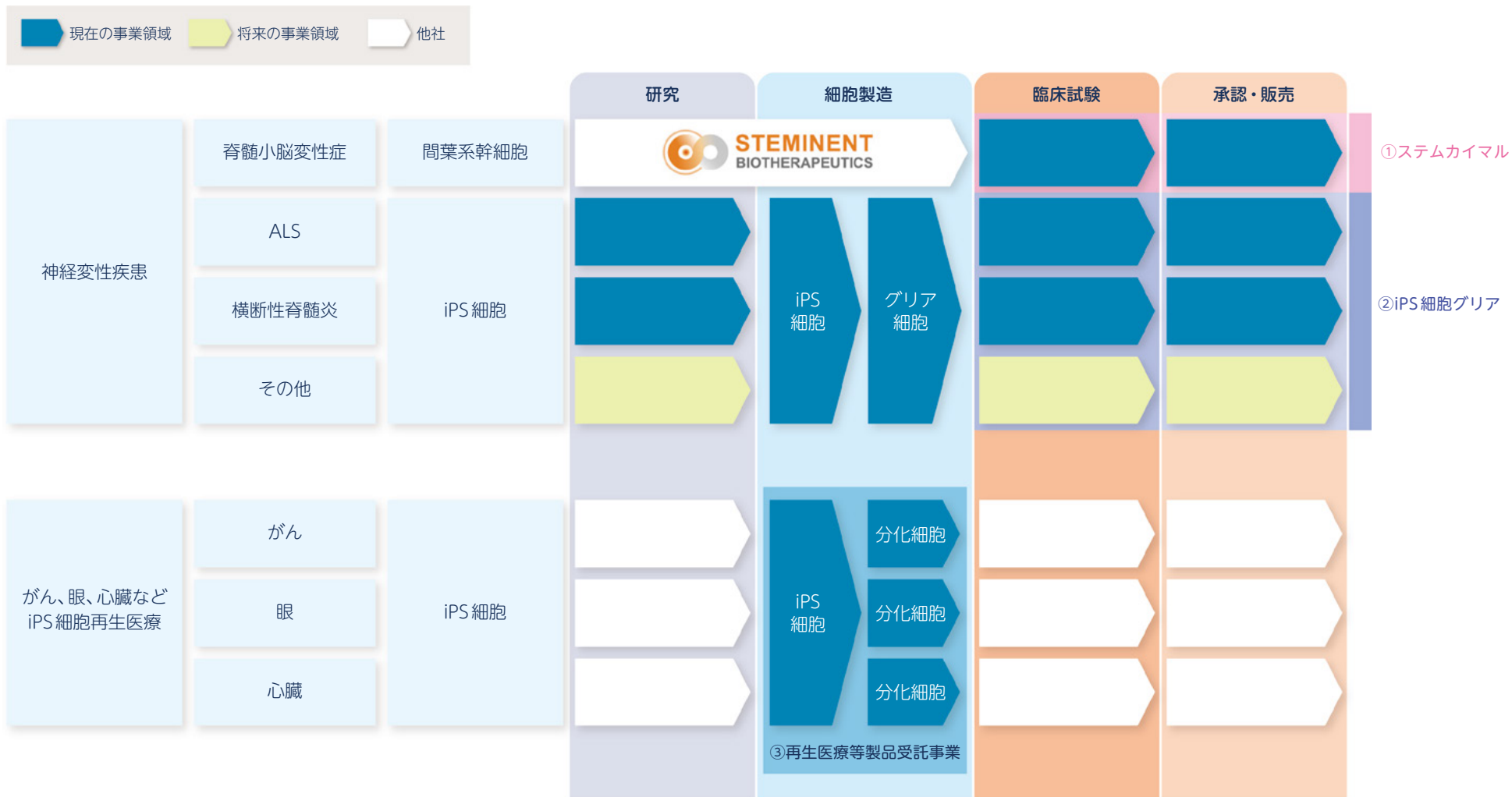
シングルセル解析

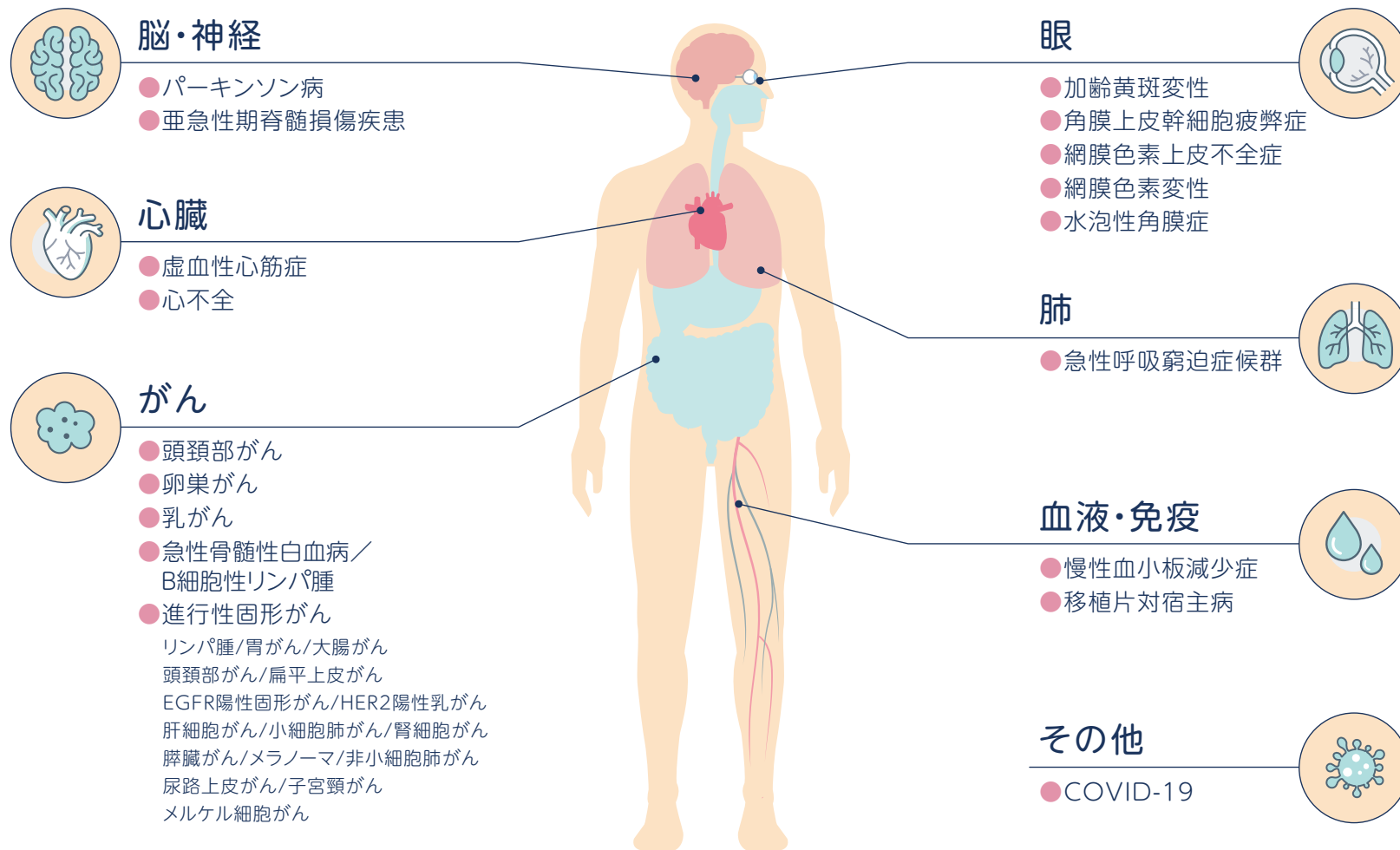
- ① 会社概要
- ② 事業環境
- ③ 研究支援事業

## ④ メディカル事業

- ⑤ 成長戦略
- ⑥ 認識するリスク及び対応策

# リプロセルの再生医療の事業領域







名称	(1) ステムカイマル(脂肪由来間葉系幹細胞)	(2) 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"> <li>●筋萎縮性側索硬化症 (ALS)</li> <li>●横断性脊髄炎 (TM)</li> <li>●多発性硬化症、脊髄損傷ほか</li> </ul> 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 2022年5月完了	前臨床試験

# ① ステムカイマルの対象疾患

## 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。



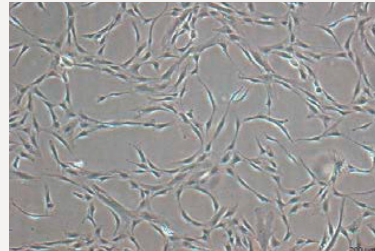
既存薬の国内年間売上は約100億円（2017年実績\*）



※出所：田辺三菱製薬（株）HP

# ① ステムカイマルの特徴と使用方法

## 脂肪組織由来の 間葉系幹細胞



**パラクリン効果** 増殖因子やサイトカインの放出

**免疫調節** 抗炎症効果

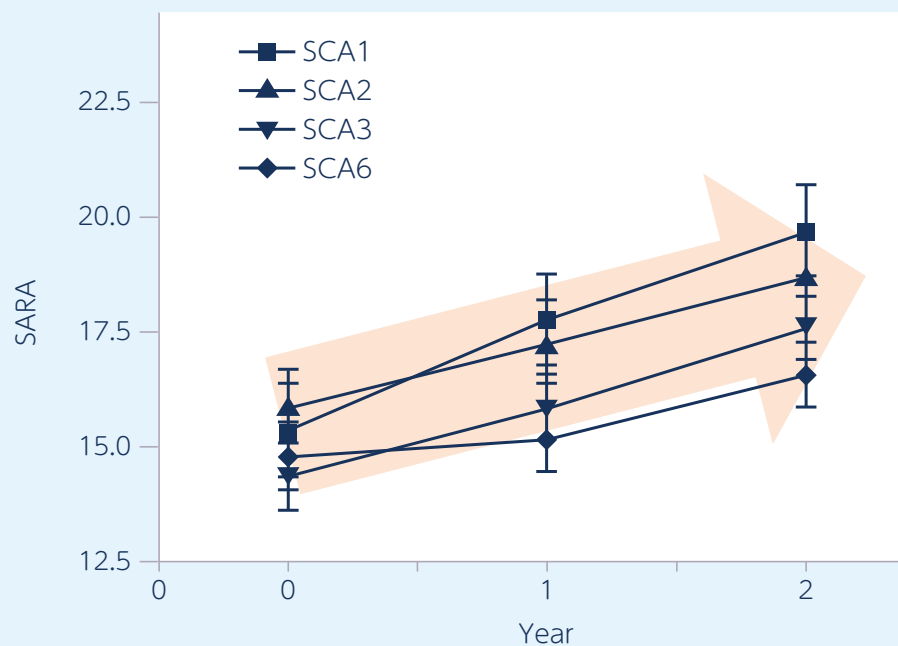
**分化能** 分化による損傷した組織の修復



# ① ステムカイマルの第 I 相臨床試験結果(台湾)

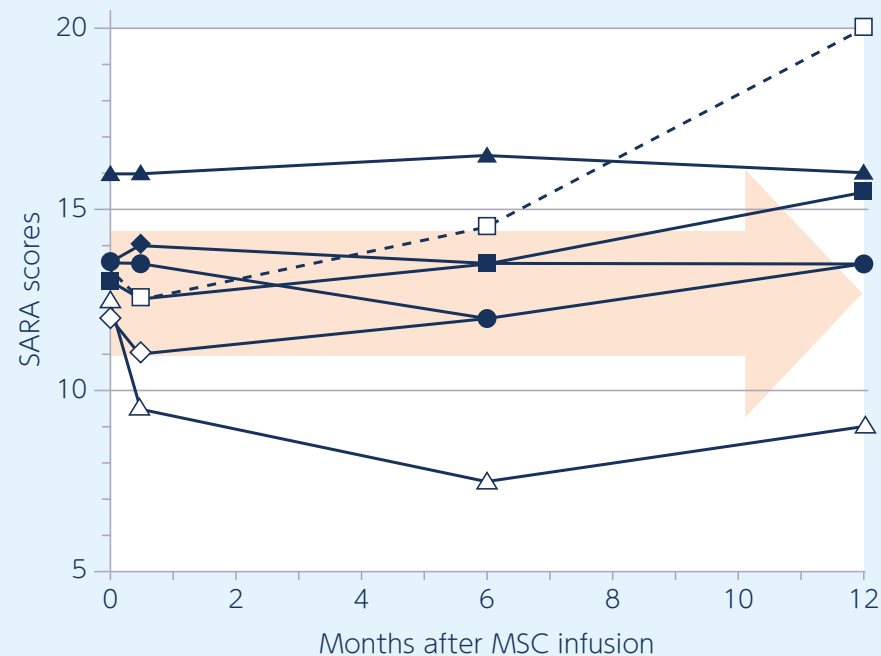
台湾の第 I 相臨床試験では、脊髄小脳変性症の進行抑制効果を示唆するデータが得られています。

■ 対照群 (Historical Control)



■ ステムカイマル投与群

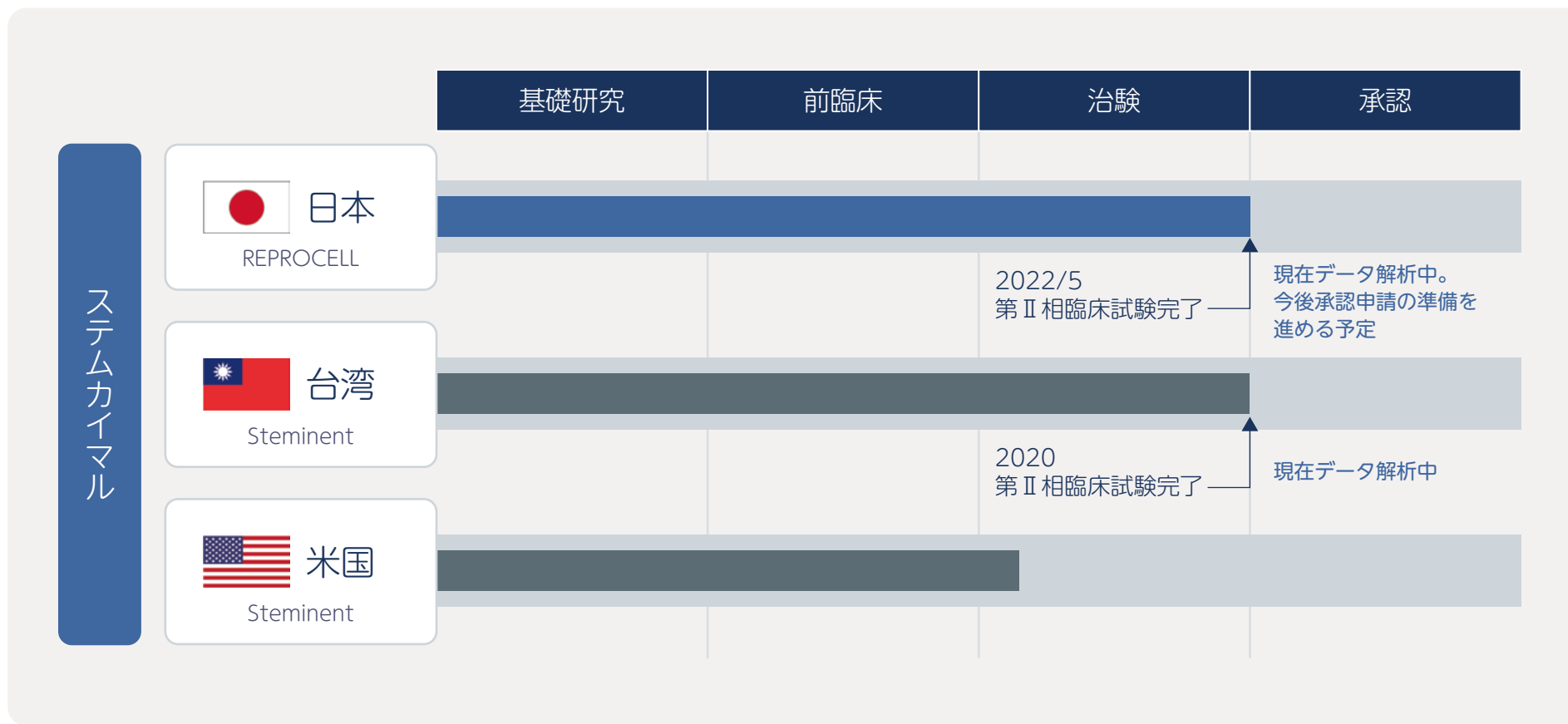
実線: SCA3 型患者 (今回の治験対象)  
点線: MSA 患者





# ① ステムカイマル臨床試験の進捗状況

日本では、2022年5月に第II相臨床試験を完了し、現在データを解析しております。  
台湾でも、第II相試験が完了しております。



# ① ステムカイマル国内第Ⅱ相試験概要

## 第Ⅱ相試験概要

治験課題名	脊髄小脳変性症患者を対象としてSB-ADSC-01の安全性及び有効性を評価する多施設共同、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）
治験製品名	SB-ADSC-01（ステムカイマル）
有効成分名	同種脂肪由来間葉系幹細胞
治験の種類（開発相）	探索的試験（第Ⅱ相）
対象疾患	脊髄小脳変性症（SCA3、SCA6）
治験期間と症例数 実施医療機関	Part I：忍容性評価 2019年11月～2020年6月 3症例（非盲検） Part II：安全性・有効性評価 2020年7月～2022年5月 59症例（SB-ADSC-01群、プラセボ群を含む）
実施医療機関	10施設

※P22～P30の試験及び試験結果に関する記載は、特段の断りがない限り全て日本における試験に係るものです。

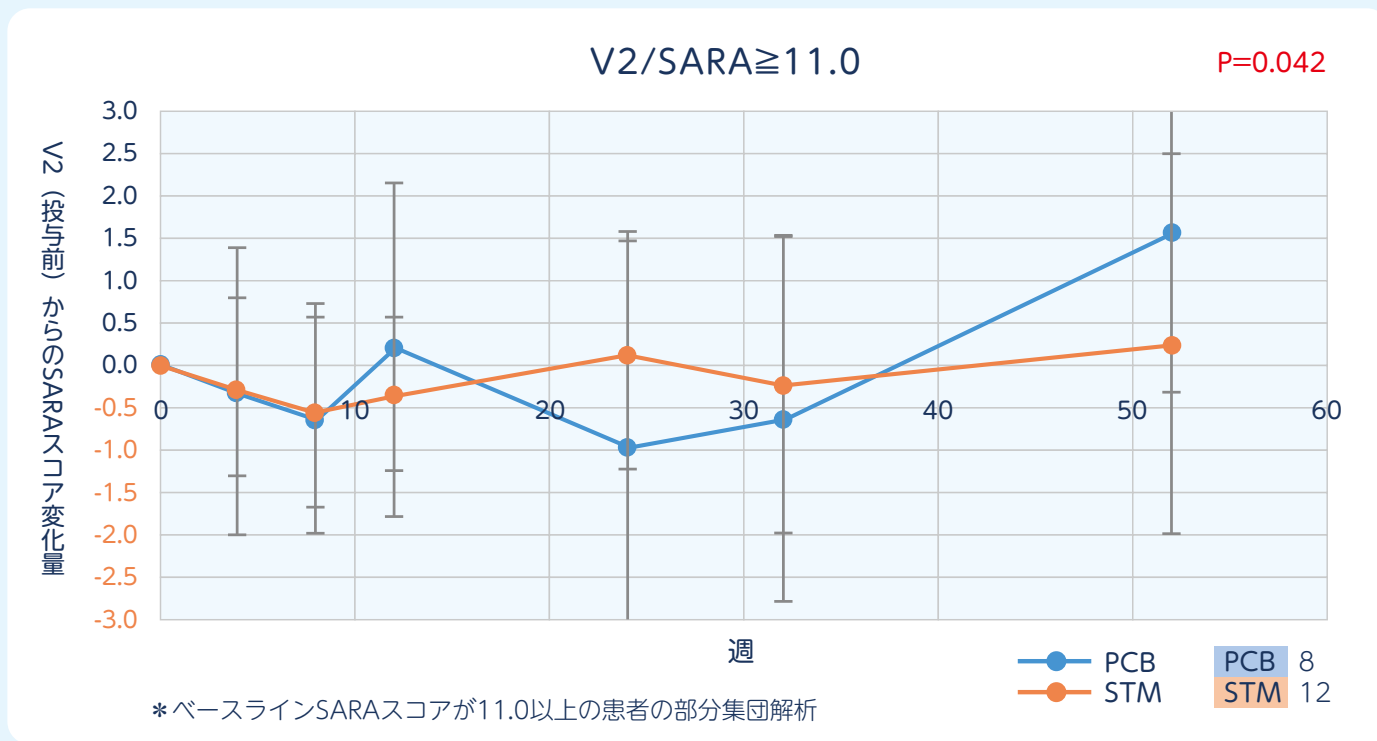
# ① ステムカイマルの国内第Ⅱ相試験の結果まとめ（安全性）

## 安全性

- 本試験に登録された全59例（ステムカイマル投与群31例、プラセボ群28例）を安全性解析対象として評価し、因果関係が否定されなかった有害事象（副作用）の発現率は、STM群77.4%（24/31例）、PCB群35.7%（10/28例）であった。但し、いずれの有害事象も回復していることを確認している。
- 試験薬との関連が疑われる重篤な有害事象は、ステムカイマル投与群、プラセボ群ともに認められなかった。
- 本試験では、外部安全性評価委員会を設置しており、当該委員会からも安全性に問題のないことが確認されている。

# ① ステムカイマルの有効性の主要評価項目の結果 (SARAスコアによる病態進行分析)

## ■ SARAスコアの病態進行分析



ベースライン SARAスコア	P値
全体解析	0.671
$\geq 9.0$	0.328
$\geq 10.0$	0.255
$\geq 11.0$	0.042
$\geq 12.0$	0.032

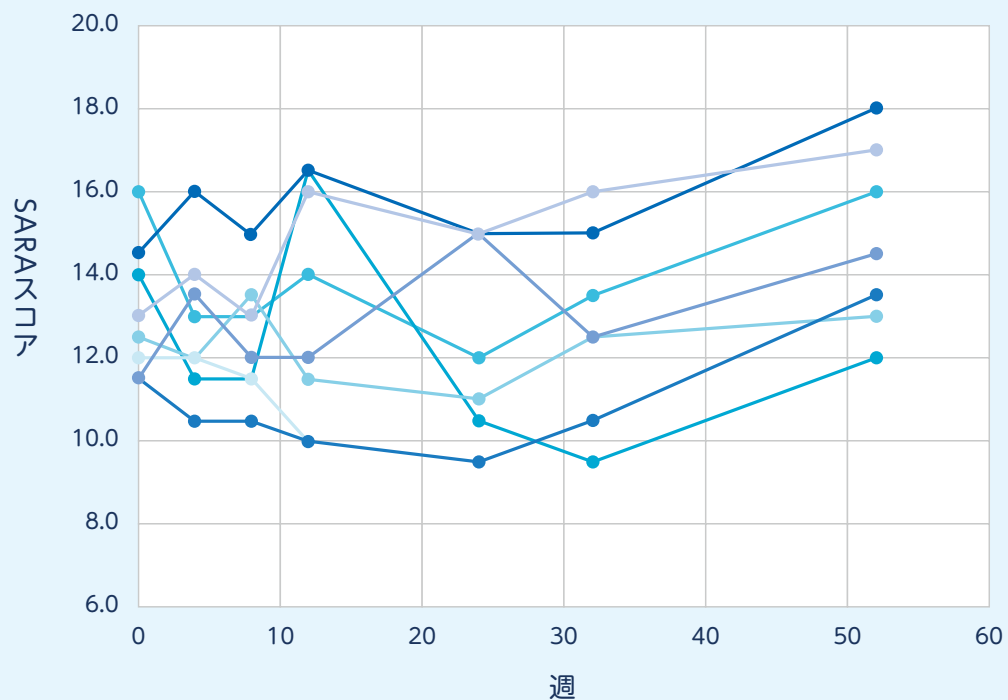
台湾における第Ⅱ相臨床試験においても、SARAスコアの病態進行分析の部分集団解析の結果、ベースの高い部分集団でSTM群がPCB群に比べて改善が認められており、日本の臨床試験と同様の傾向が確認されました。

SARAスコア：脊髄小脳変性症の症状の評価のために、広く用いられている指標です。評価方法は、歩行や立っているときの状態、会話の様子や指先の運動などを治験担当医師が観察し、症状を評価します。症状が悪化するほど、スコアは増加します。

# ① SARAスコアの変化 (PCB vs STM)

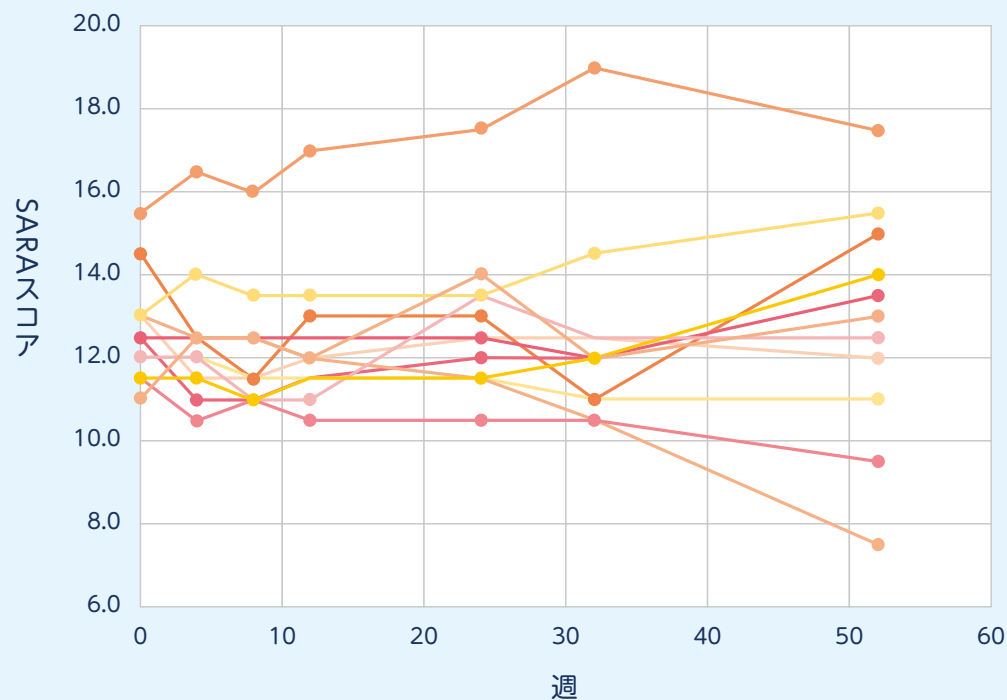
■ プラセボ群

V2/SARA ≥ 11.0, PCB



■ ステムカイマル群

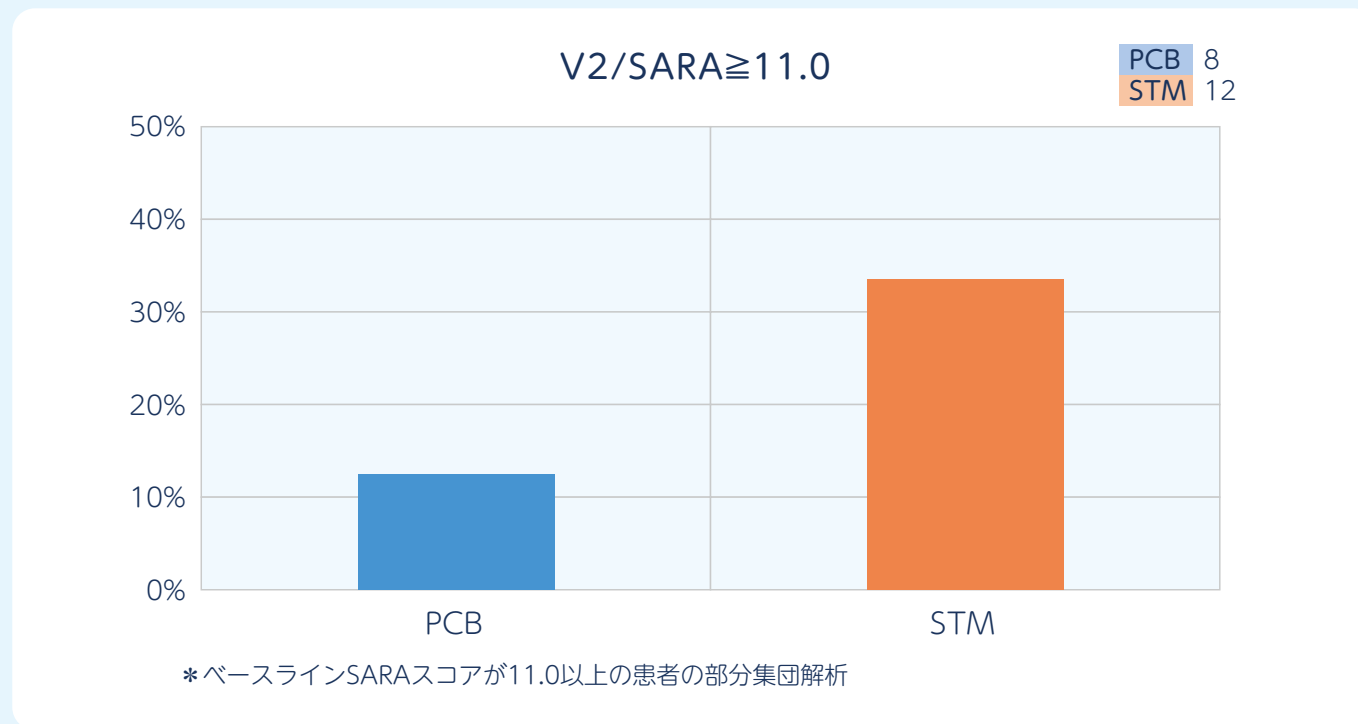
V2/SARA ≥ 11.0, STM



\* ベースラインSARAスコアが11.0以上の患者

# ① ステムカイマルの有効性の副次評価項目の結果 (SARAスコアの改善割合)

## ■ SARAスコアの改善割合

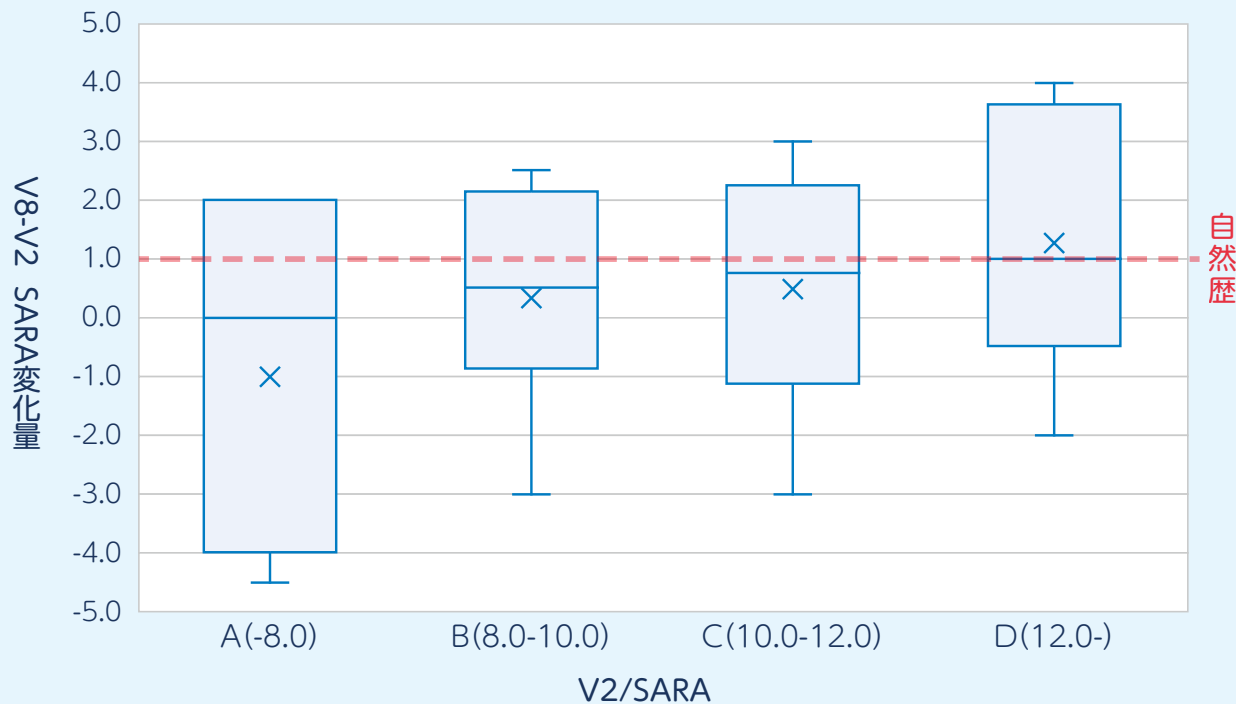


SARAスコアの改善割合：V2 に対して V8 が改善した (SARA スコアの変化量がマイナス) 患者の割合



# ① プラセボ効果の検証

■ 本治験における  
プラセボ効果



横軸：投与前のベースラインのSARAスコア

縦軸：投与前のベースライン(Visit2)から52週(Visit8)のSARAスコアの変化量

\* SARAスコアは1年あたり約1.0ポイント増加することが報告されている

Ashizawa T, Figueroa KP, Perlman SL, et al. Clinical characteristics of patients with spinocerebellar ataxias 1, 2, 3 and 6 in the US; a prospective observational study. Orphanet J Rare Dis. 2013;8:177

# ① プラセボ効果の検証（既報論文）

(既報論文)

脊髄小脳変性症に関するランダム化比較試験 24治験（1997年～2020年）

	カテゴリー	治験数
A	プラセボ効果の統計的有意差がみとめられる	3
B	統計的有意差はないものの、プラセボ効果あり	19
C	プラセボ効果がみとめられない	2

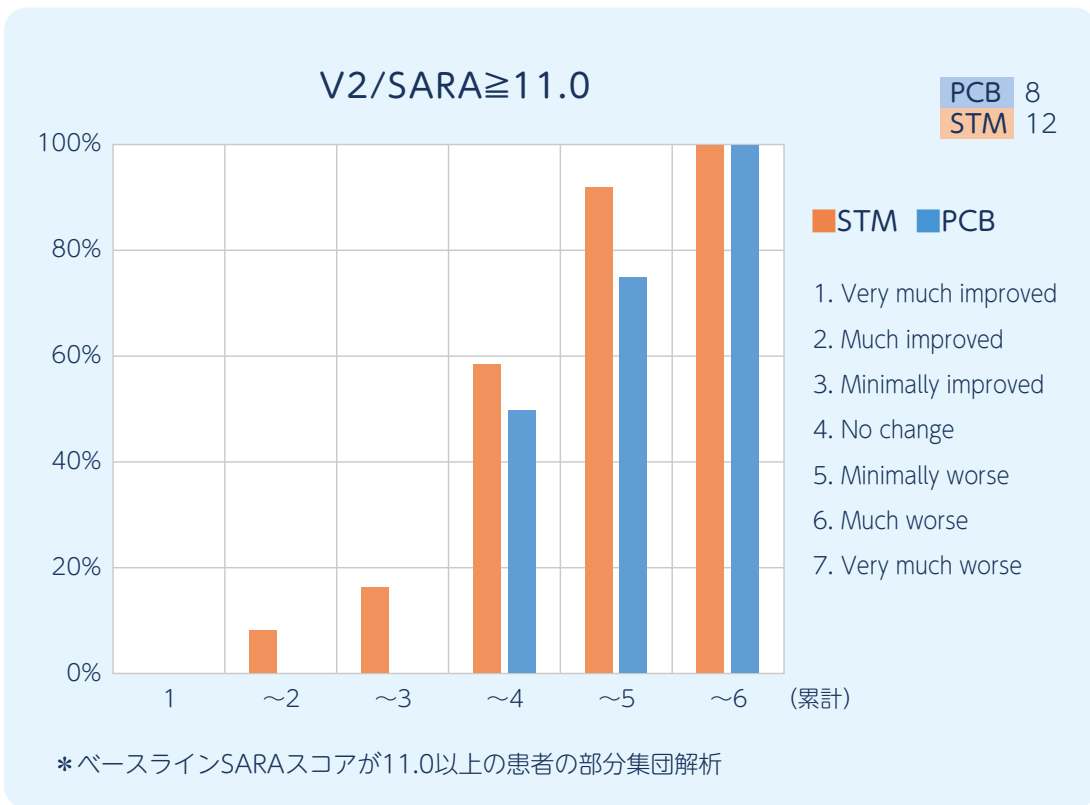
} 22/24

1997年～2020年にかけて国内外で実施された脊髄小脳変性症に対するランダム化比較試験24治験中22件において、SARAスコア等の運動性評価指標がベースラインよりも改善される、いわゆるプラセボ効果が報告されている

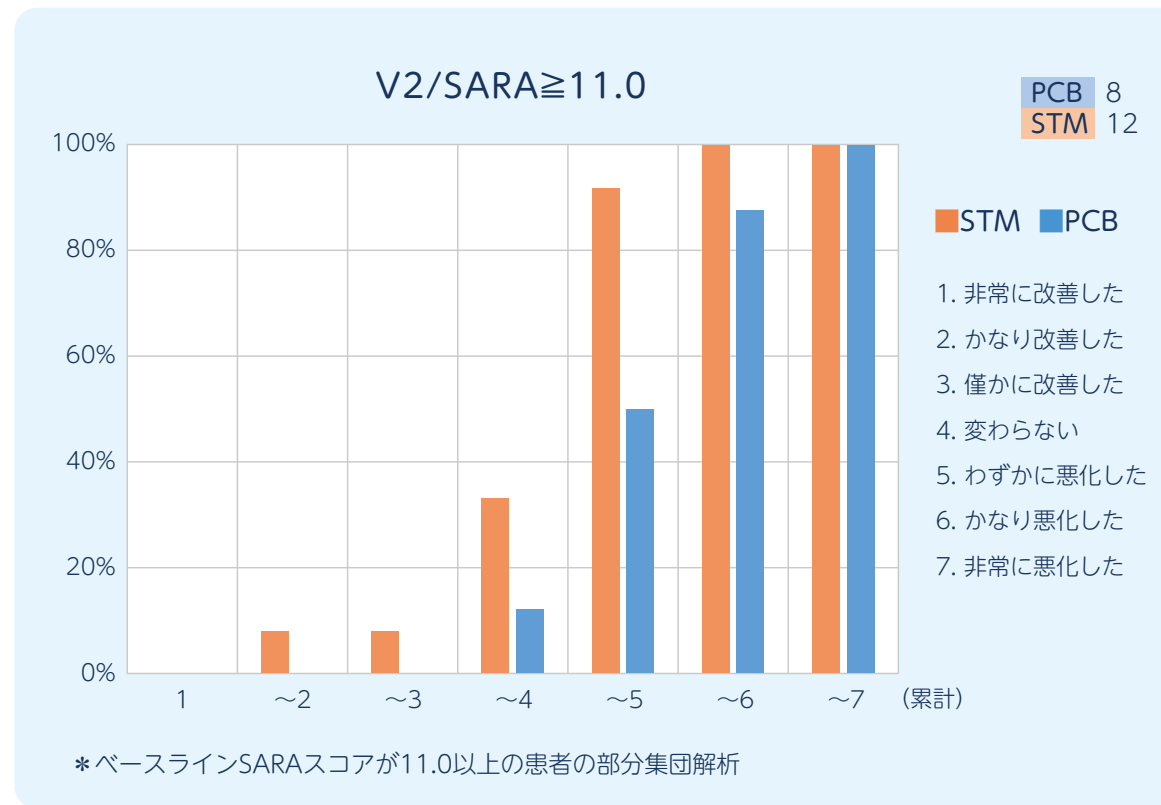
引用：Choi JH, Shin C, Kim HJ, Jeon B. Placebo response in degenerative cerebellar ataxias: a descriptive review of randomized, placebo-controlled trials. J Neurol. 2022;269(1):62-71.

# ① ステムカイマルの有効性の副次評価項目の結果 (CGI, PGI-I)

## ■ CGI (臨床全般印象度)



## ■ PGI-I (改善に関する被験者の全般印象度)



CGI (臨床全般印象度): 治療開始時からの被験者の変化を、7つの分類(1. 著明改善~ 7. 著明悪化)の中から、治療経験を有する治験担当医師が評価する指標です。症状が悪化するほど、スコアは増加します。

PGI-I (改善に関する被験者の全般印象度): 治療に対する状況の変化を分類するための総合的な指標であり、7つの分類(1. 非常に改善した~ 7. 非常に悪化した)の中から、被験者自身に該当する回答を選択いただくアンケートになります。症状が悪化するほど、スコアは増加します。

# ① ステムカイマルの国内第Ⅱ相試験の結果まとめ（有効性）

## 有効性

- 主要評価項目（SARA）の全体集団解析において、ステムカイマル群はプラセボ群に比べて統計学的に有意な改善は認められなかった。
- 一方、既報論文と同様、ベースライン（投与前のSARAスコア）が低い部分集団ほど大きなプラセボ効果が見られたため、統計解析計画書及び医学専門家の助言に基づき、ベースラインを基準とした部分集団解析を実施した。
- その結果、ベースライン11以上の部分集団で、主要評価項目であるSARAスコアの病態進行分析で、P値が0.042となり、ステムカイマル群がプラセボ群に比べて統計的に有意な改善を認めた。
- 上記の部分集団解析で、副次評価項目であるSARAスコアの改善割合、CGI-I（臨床全般印象度）、PGI-I（被験者の全般印象度）、いずれも臨床症状の抑制効果が見られ、主要評価項目と共通の結果が得られた。
- 独立して実施した台湾の第Ⅱ相臨床試験においても、ベースラインの高い部分集団で、SARAスコアの病態進行分析や改善割合において、日本と同様の改善傾向がみられた。
- ステムカイマルは脊髄小脳変性症に対して、プラセボ効果の影響が少ないと考えられるベースの高い部分集団で有効性が確認でき、脊髄小脳変性症に一定の有効性が期待できるものとする。

# ① 日本における間葉系幹細胞製品の開発状況

## テムセルHS®注 (JCRファーマ)

承認

### 他家骨髄由来間葉系幹細胞

適応疾患	GVHD (造血幹細胞移植後の免疫拒絶)
薬価	約1,390万円 (1回2パック、計8回使用した場合)

## ステミラック®注 (ニプロ)

条件付き承認

### 自家骨髄由来間葉系幹細胞

適応疾患	脊髄損傷
薬価	約1,495万円

## ステムカイマル (当社)

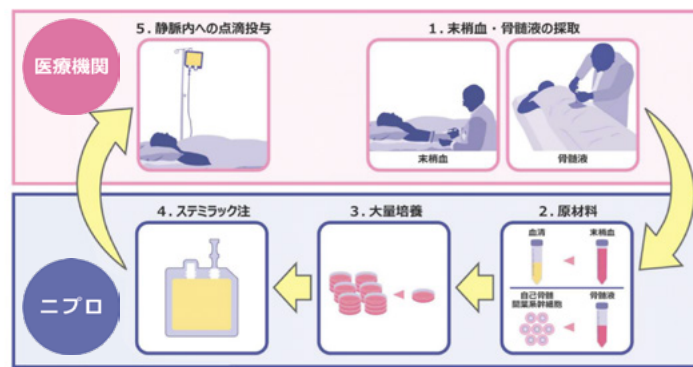
治験

### 他家脂肪由来間葉系幹細胞

対象疾患	脊髄小脳変性症
薬価	未定 (指定難病のため、患者負担額の上限は約3万円)



www.mhlw.go.jp



www.mhlw.go.jp



# ① ステムカイマルの競合分析

脊髄小脳変性症を対象とした当社パイプラインのステムカイマルについて、  
 既存薬よりも高い有効性が示唆された場合は既存薬から置き換わるものと考えています。<sup>※1</sup>

	ステムカイマル (当社パイプライン)	セレジスト (既存薬)
薬価 <sup>※2</sup>	~14百万円	973.5円
対象患者数 <sup>※3</sup>	7,500人-25,000人	25,000人
投与方法	静脈注射 3回/年	2錠服用/日
売上規模 <sup>※4</sup>	190億円~	100億円

※1：既存薬の有効性に関する参考論文 (Norihito Takeichi, Equilibrium Res Vol. 73(2) 47~54, 2014)。

※2：ステムカイマルは1治療（3回投与）あたり、セレジストは1錠剤あたりの薬価となります。

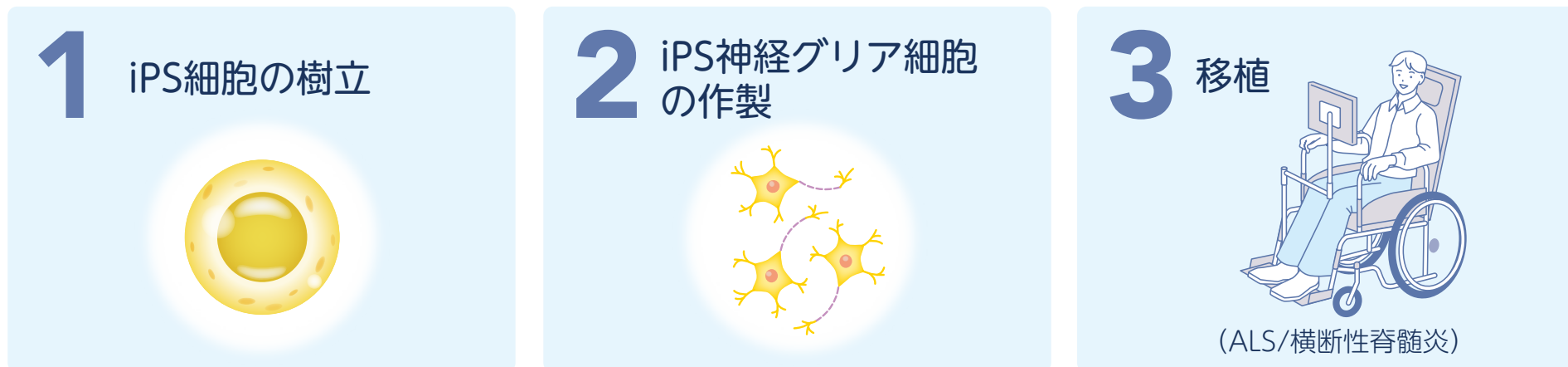
※3：ステムカイマルは遺伝性疾患のみを対象とした場合と遺伝性以外（孤発性）を含んだ場合のレンジとなります。

※4：ステムカイマルはピーク時のシェアを仮に60%と仮定した場合の見込みとなります。セレジストは2017年の販売実績となります（田辺三菱製薬（株）HPより）。



## ② iPS神経グリア細胞の概要

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います。



	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)			

AMED 公募事業「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」への採択されました。本支援を受け、研究開発を加速してまいります。

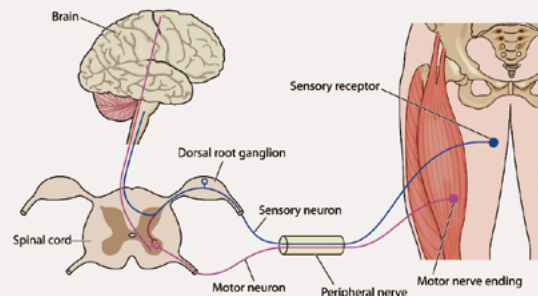
## ② iPS 神経グリア細胞の対象疾患

### 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йна・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

## ② iPS神経グリア細胞の将来展望

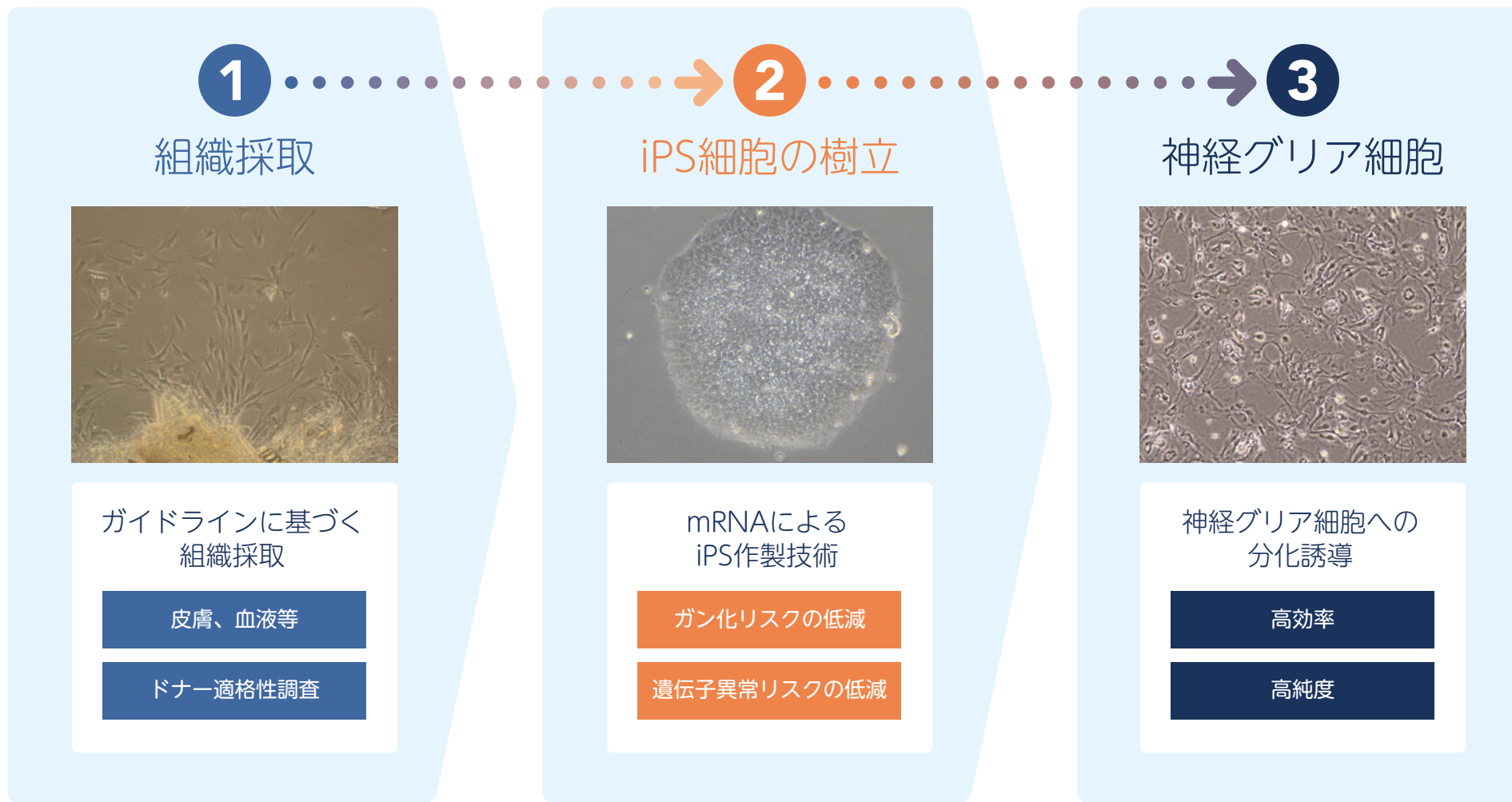
ALS、横断性脊髄炎だけでなく、将来、様々な神経変性疾患への適用拡大を目指します。

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

\*出所：アメリカ国立衛生研究所（National Institutes of Health; NIH）、クリストファー・アンド・デナ・リーブ財団麻痺障害リソース・センター、Q therapeutics社のwebサイトを参考に当社作成

## ② iPS細胞から神経グリア細胞の作製プロセス



# ヒト由来神経グリア細胞を用いたマウス実験(参考資料)

ヒト由来神経グリア細胞を用いた動物実験では、有効性が示されています。

## 髄鞘欠損モデルマウスの運動機能

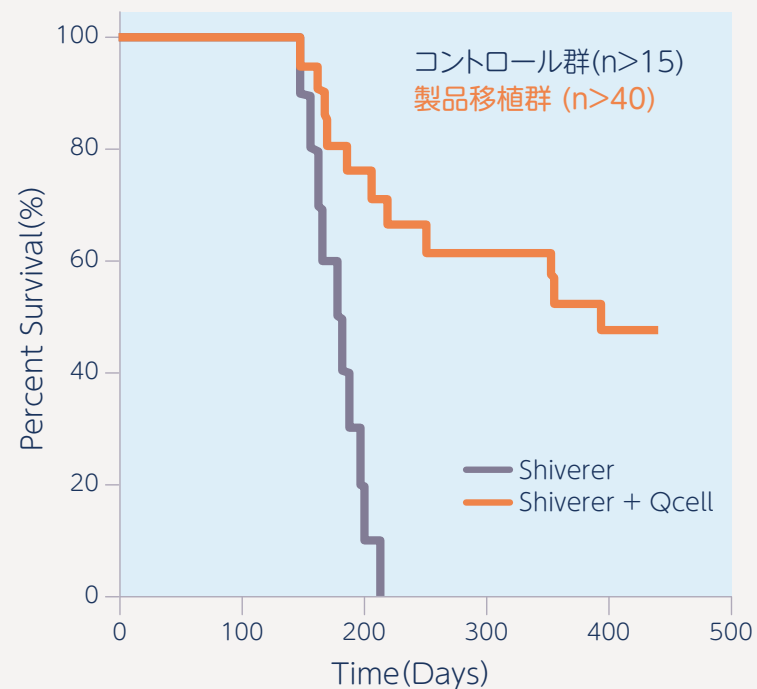
非移植マウス  
(生後100日)

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



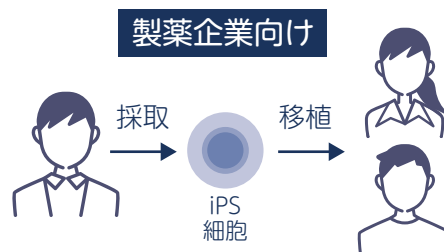
出典 : Lyczek et al. Experimental Neurology (2017)  
Walczak lab - Johns Hopkins



# ③ iPS細胞作製サービス

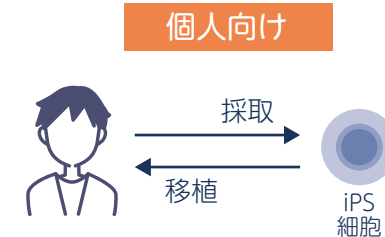
## 1 臨床用 GMP※-iPS細胞

世界的なiPS細胞由来医薬品の治験増加に対応し、国内外に積極的に展開いたします。



## 2 パーソナルiPS

現状は競合企業も少なく、新たなビジネスの先駆者として取り組んでいきます。



	GMP-iPS細胞	パーソナルiPS細胞
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リプログラミング方法	RNAリプログラミング方法

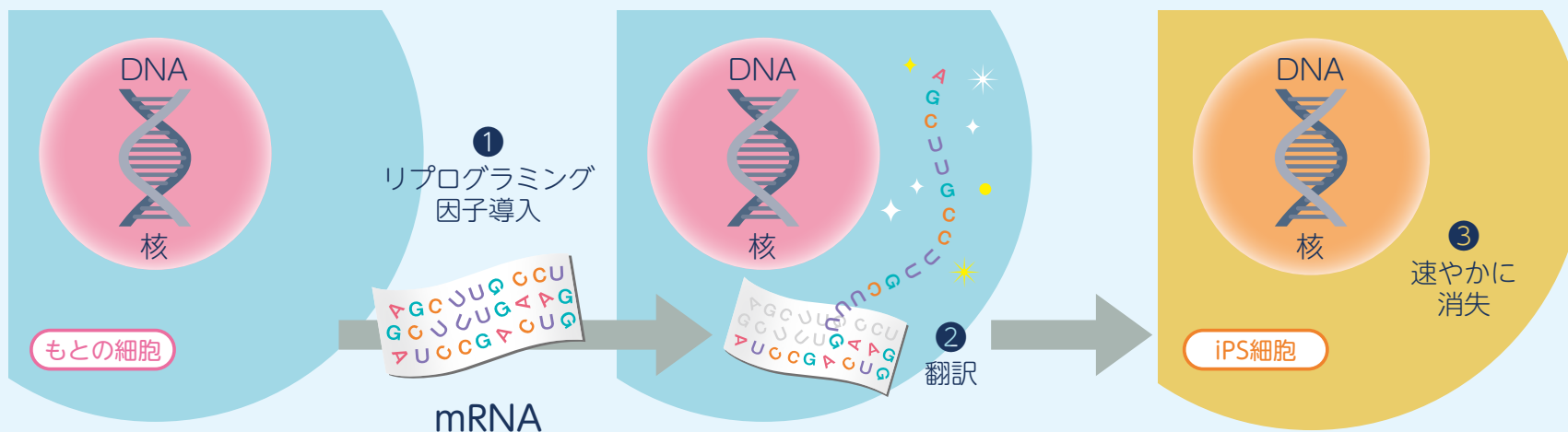
※GMPとは、 Good Manufacturing Practice（医薬品の製造管理及び品質管理の基準）の略であり、医薬品製造にかかる規制となります。



# ③ mRNA を用いた iPS 細胞作製技術

mRNAは

- 核内に入らないので、元のDNAに変異を生じさせません。
- 速やかに消失し、iPS細胞内に残存しません。

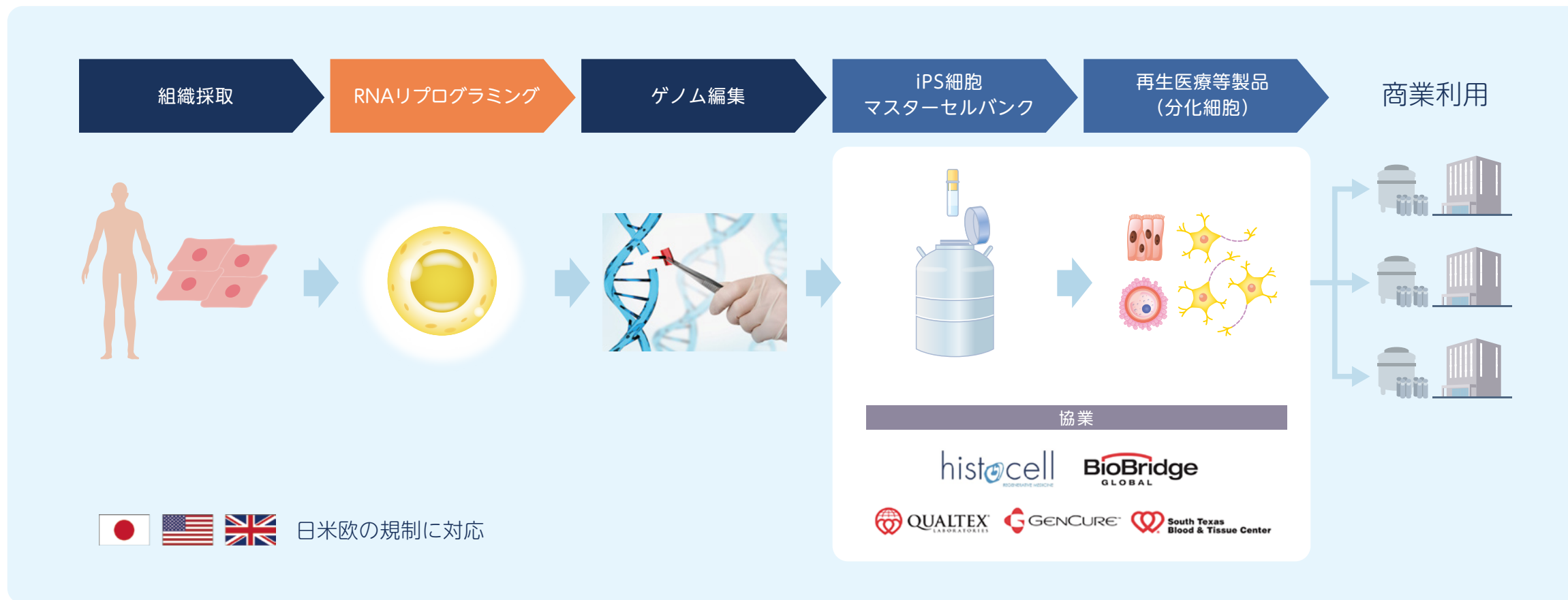


mRNAによるiPS作製

- ガン化リスクの低減
- 遺伝子異常リスクの低減

# ③ iPS細胞再生医療等製品の受託製造事業

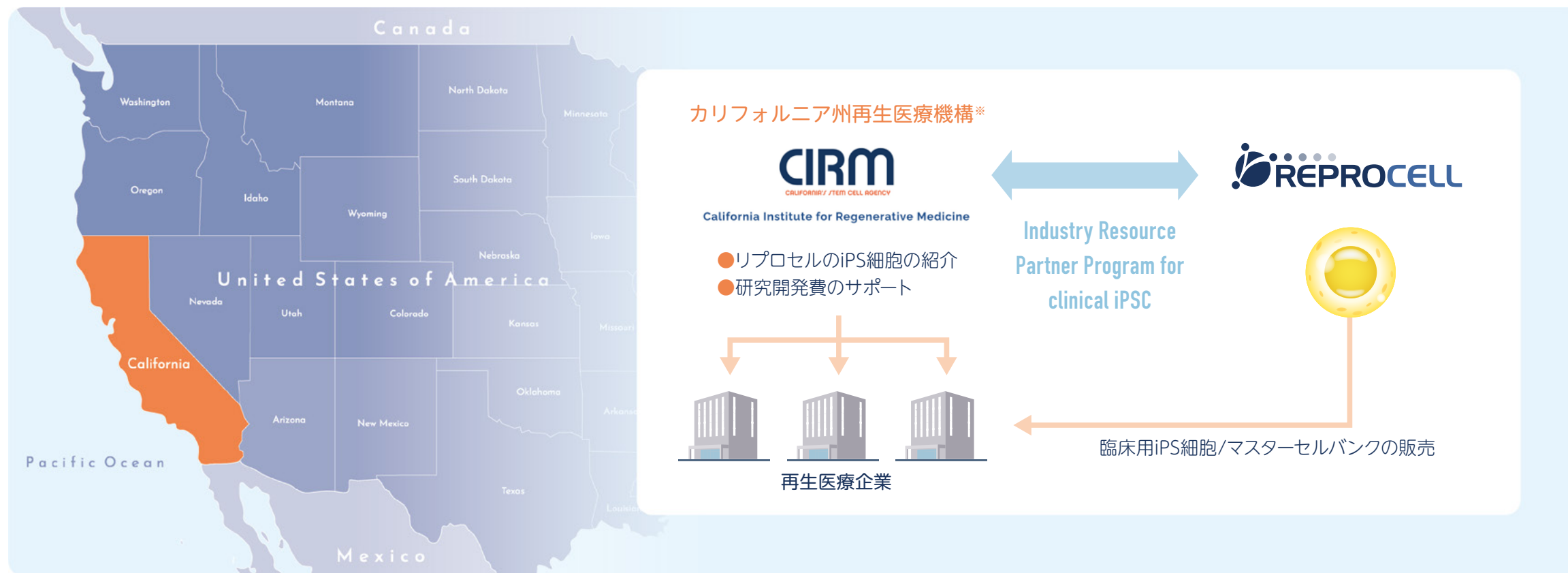
日米欧の規制<sup>\*</sup>に対応して、組織採取から再生医療等製品の製造までを一貫して実施できる体制を整えました。



<sup>\*</sup>日本ではPMDA（医薬品医療機器総合機構）、米国ではFDA、欧州ではEMAと各国/地域の規制機関の規制に対応しています。

### ③ カリフォルニア州再生医療機構とのパートナープログラム

カリフォルニア州再生医療機構（CIRM）と臨床用iPS細胞の提供に関する基本契約を締結しました。本プログラムを通じて、CIRMの支援する再生医療企業へ当社の臨床用iPS細胞を提供してまいります。

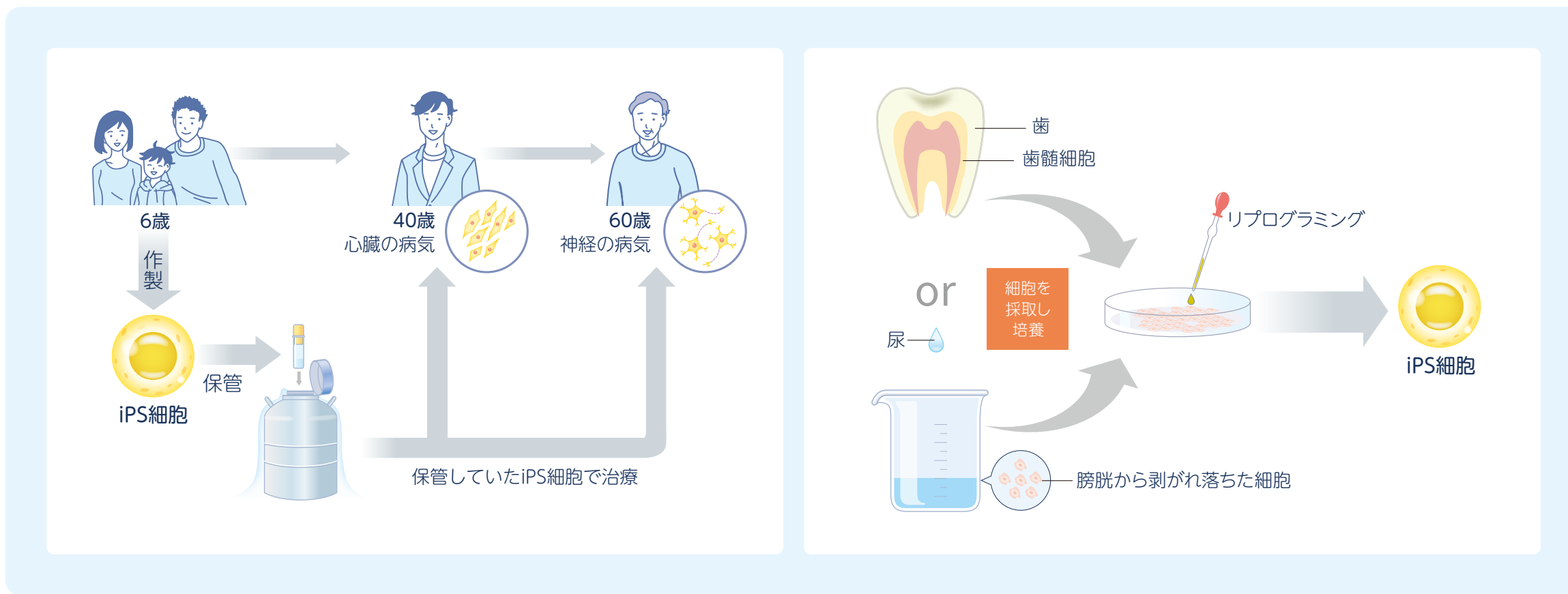


※CIRMは再生医療を推進する公的機構で、将来性がある再生医療技術への研究開発、臨床応用への融資を行っています。55億米ドル（1ドル=140円換算で7,700億円）の基金を設立し、現在160件以上のプログラムを支援しています。世界最大規模の機構です。

# ③ パーソナルiPS

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。

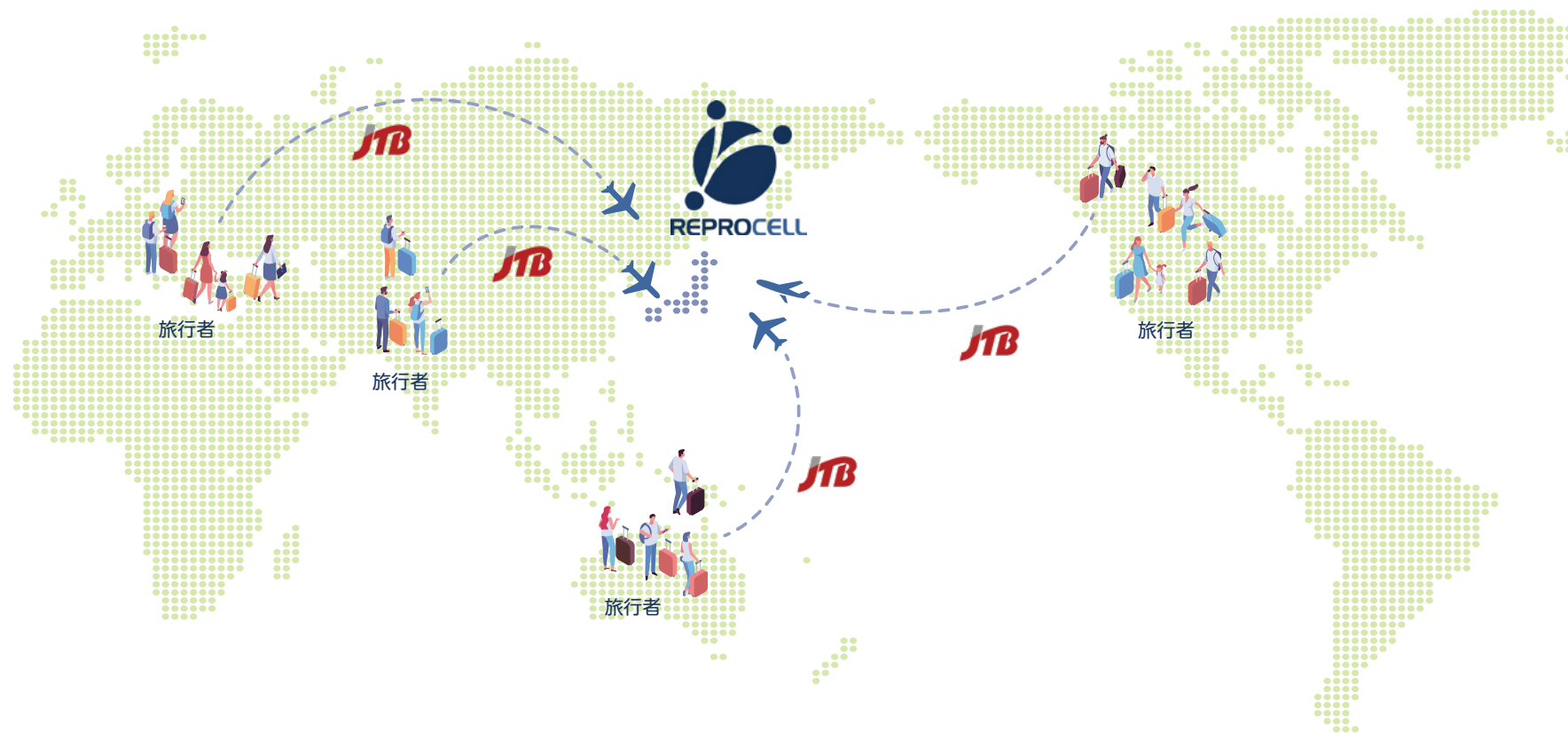
## Personal iPS



### ③ パーソナルiPSに関する株式会社JTBとの業務提携

パーソナルiPSに関して、株式会社JTBと業務提携をいたしました。  
 これにより、日本国内に加えて、訪日外国人を対象とした販売展開を  
 ジャパン・メディカル&ヘルスツーリズムセンター（JMHC）を通じて開始いたします。

Personal iPS 



### ③ 特定細胞加工物製造許可施設

当社の殿町・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



写真提供 / 神奈川県



登録衛生検査所としての長年の経験を生かし、新型コロナウイルスPCR検査を開始しました。陽性検体に関して、変異株の同定検査を実施しています。2023年3月末時点までの検査実績数は累計で33万件となります。

## 登録衛生検査所として 18年間の実績

2005年に登録衛生検査所として  
リプロセル臨床検査センターを開設し、  
日本全国300以上の医療機関との取引実績

精度管理責任者、指導監督医の指導のもと、  
臨床検査技師が厳格な精度管理

🕒 24時間以内

スマートアンプ  
PCR検査



陽性  
偽陽性

変異株同定PCR  
(1-2時間)



陰性



陽性結果  
変異株同定

- ① 会社概要
- ② 事業環境
- ③ 研究支援事業
- ④ メディカル事業

## ⑤ 成長戦略

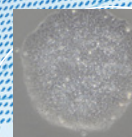
- ⑥ 認識するリスク及び対応策

## 日本のiPS細胞を世界へ

日本、米国、英国、インドの拠点を最大限活用し、グローバルに再生医療事業を展開します。



REPROCELL  
Europe



REPROCELL  
Inc.



Bioserve  
Biotechnologies  
India



REPROCELL  
USA



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

## 再生医療事業の成長戦略

当社は、希少疾患を対象とした再生医療等製品に特化し、大手製薬企業とは異なる領域で、当社の強みを生かした事業推進を行っています。

	当社 (リプロセル)	大手製薬企業
製品	再生医療等製品	低分子・核酸・抗体医薬品等
対象疾患	希少疾患（オーファン）	三大疾病（がん、心疾患、脳卒中）等
患者数	数万人	数百万～数千万人
メリット	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 中規模な治験費用</li> <li>● オーファン補助金により治験費用をカバー</li> <li>● 条件及び期限付き承認により早期販売が可能</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 上市後は大規模な収益</li> </ul>
デメリット	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 上市後は中規模な収益*</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 大規模な治験費用</li> <li>● 長期の治験期間</li> </ul>

※一般的には、希少疾患は患者数が少ないため、製薬会社の採算が取れない場合がありますが、再生医療等製品の薬価は高い傾向にあり、採算の確保は可能と想定しています。



## 前期の事業進捗まとめ

研究製品、研究受託サービスに加え、研究機器を販売し、総合的なソリューションを提供しました。



GMP-iPS細胞マスターセルバンクに加え、その先の再生医療等製品の受託製造も提供できる体制を整えました。

カリフォルニア州再生医療機構とIndustry Resource Partner Programの契約を締結しました。本プログラムを通じて、GMP-iPS細胞を提供してまいります。

## [研究支援事業]

株式会社JTBとパーソナルiPSに関して業務提携を行いました。国内及びインバウンドにおける販路を拡大いたします。

Personal iPS   
GMP-iPS細胞  
マスターセルバンク

## [メディカル事業]



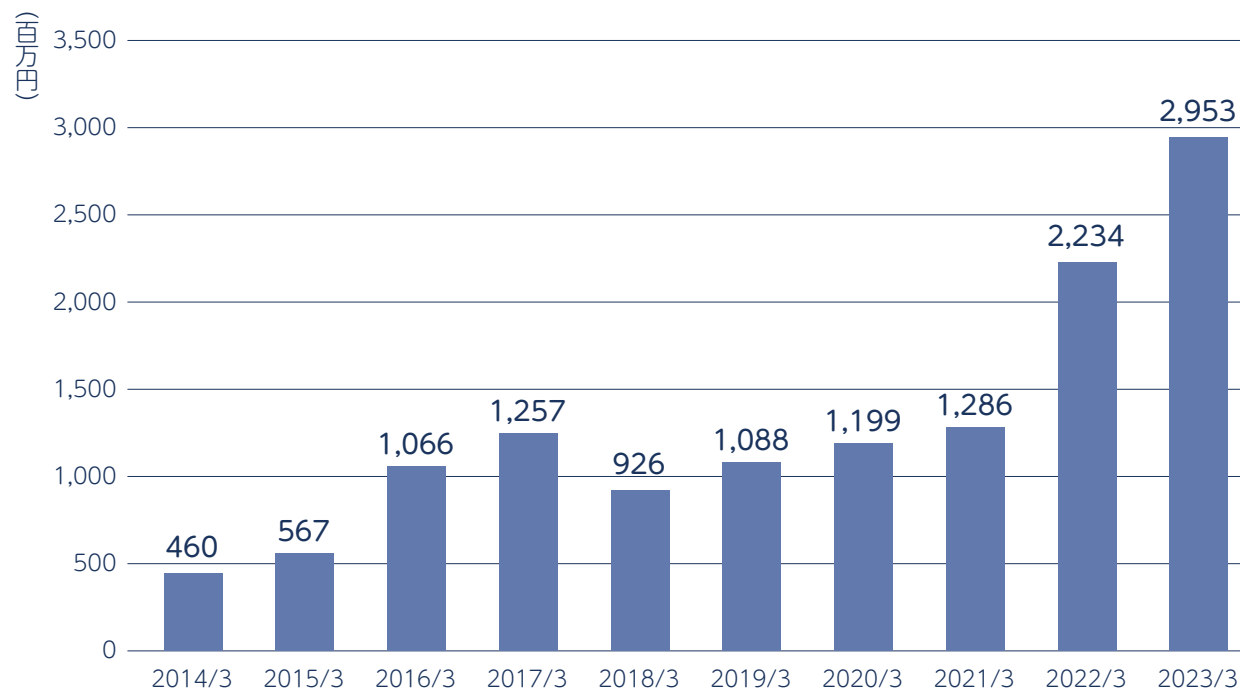
iPS神経グリア細胞のプロジェクトが、AMED公募事業「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」に採択されました。本支援を受け、研究開発を加速してまいります。

STEMCIMALの国内第Ⅱ相臨床試験における、安全性と有効性に関するデータ解析を行いました。



## 売上高の推移

2023年3月期の売上高は上場以来の**過去最高額**を記録しました。



2023年3月期(2022/4-2023/3)

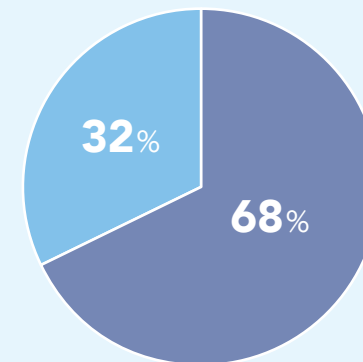
**2,953**百万円

(前年同期比)

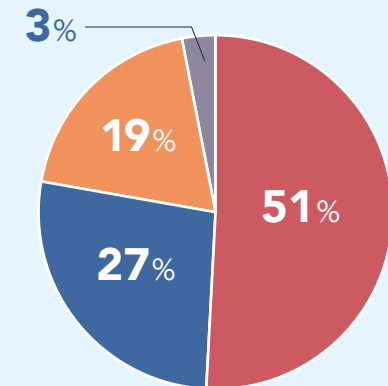
**+719**百万円(+32%)



(百万円)	2022年 3月期 (実績)	2023年 3月期 (実績)	前年比	2024年 3月期 (予想)
売上高	2,234	2,953	+719	3,048
営業利益	▲647	▲356	+291	▲110
経常利益	▲507	▲119	+388	148
当期純利益	▲575	▲305	+270	148
研究開発費	535	501	▲34	481

2023年3月期  
セグメント別売上比率

■研究支援事業 ■メディカル事業

2023年3月期  
地域別売上比率

■日本 ■米国 ■英国 ■インド

経営上重視している指標として、売上高の拡大及び  
経常利益の黒字化を目指し、事業を推進しております。

※本資料の昨年度版では事業別売上比率を掲載しておりましたが、当社では基本的  
に上記セグメント別で業績管理・対外開示を行っているため、本資料より  
セグメント別売上比率に変更しました。

## 2023年3月期 予想と実績値の比較

2022年5月13日付で開示しました2023年3月期連結業績予想は、2023年5月10日付開示にて下記の通り修正しております。

(百万円)	2023年3月期 期初予想	2023年3月期 予想 (2023年5月10日開示)	2023年3月期 実績	変動要因
売上高	2,476	2,953	2,953	海外子会社を含めた研究支援事業及びPCR検査事業の販売増、為替の影響
営業利益	▲280	▲356	▲356	
経常利益	▲136	▲119	▲119	
当期純利益	▲136	▲305	▲305	主にPCR検査事業に係る固定資産の減損損失及び投資有価証券評価損の計上

## 1 事業拡大

新規事業である臨床用iPS細胞（GMP-iPS細胞マスターセルバンク）、パーソナルiPS及び臨床検査（新型コロナウイルスPCR検査、新規郵送検査サービス、がんのコンパニオン診断検査）を大きく伸ばし、研究支援事業と同レベルにまで成長させることで、会社全体として大きな成長を実現してまいります。また、STEMカイマルの想定売上規模は、現在の他の事業に比べ著しく大きいと想定しており、製造販売承認取得後はSTEMカイマルが会社全体の売上/利益を大きく牽引すると見込んでおります。

## 2 新型コロナウイルス感染症の影響

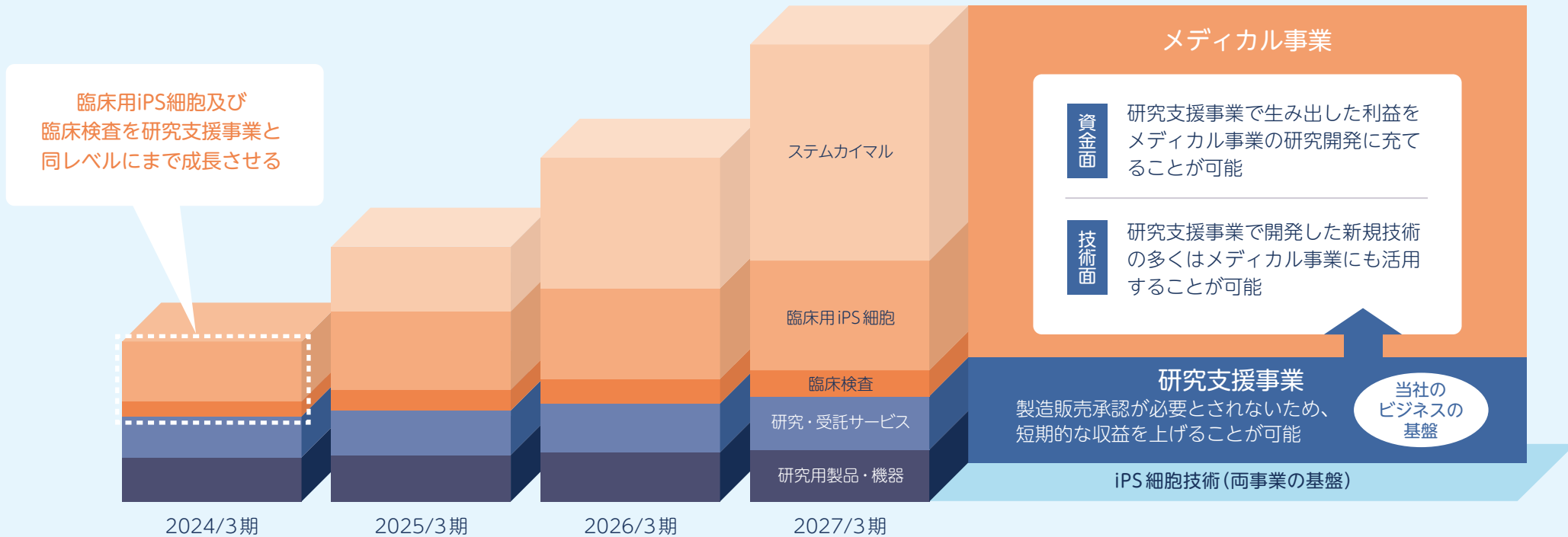
現時点においては、新型コロナウイルス感染症が今後当社に及ぼす影響は軽微であると判断しています。ただし、新型コロナウイルス感染症の広がりや影響度等の見積りは不確実性を伴うため、今後の見通しや前提条件が大きく変わる可能性もあります。

## 3 為替

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=120円、1英ポンド=150円、1印ルピー=1.65円を前提としております。

# 事業成長イメージ(2027/3期まで)

新規事業である臨床用 iPS 細胞および臨床検査の売上高を大きく伸ばし、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。  
その後、ステムカイマルの承認により飛躍的な成長を目指します。



# 資金調達（第三者割当による新株予約権）

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。

本新株予約権により2,929百万円の資金調達が完了しております（2022年10月に残存する本新株予約権の全部を取得・消却済）。

（単位：百万円）

具体的な資金使途	充当予定額	充当額 (2023年3月末時点)	充当予定時期
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	500	2022年4月～2024年6月
② iPS神経グリア細胞の適用拡大に係る費用	750	560	2021年7月～2024年6月
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	450	2021年7月～2024年6月
④ 新規パイプラインの導入及び治験に係る費用	2,490	500	2022年4月～2024年6月
⑤ 運転資金等	1,050	739	2021年7月～2024年3月

- ① 会社概要
- ② 事業環境
- ③ 研究支援事業
- ④ メディカル事業
- ⑤ 成長戦略

## ⑥ 認識するリスク及び対応策

主要なリスク	顕在化の可能性 ／時期	顕在化した場合の 影響度	対応策
<p><b>競合リスク</b> iPS細胞の分野は、熾烈な研究競争が行われており、技術革新が速く、新規参入の動きが活発となっているため、従来の技術が陳腐化するリスク。 また、新規参入は大手企業を含めて増加しており、これら競合相手の中には、生産性や販売力、資金力で当社グループを上回る企業が含まれる可能性がある。</p>	中／中長期	大	当社グループは、世界的な大学や公的研究機関と連携し、常に世界最先端の技術開発に先行して取り組んでいる。
<p><b>再生医療ビジネスに関するリスク</b> 現在当社グループでは、①体性幹細胞由来の再生医療製品 ステムカイマル、及び②再生医療向けiPS神経グリア細胞、 の2つのパイプラインがあります。 臨床試験において、想定外の有害事象の発生及び有効性が証明できないなどの理由で、治験の中止または承認が得られないリスク。 また、承認申請及び審査の過程で遅延が起こるリスク。</p>	中／中長期	大	<ul style="list-style-type: none"> <li>①ステムカイマルの承認申請については実績が豊富な外部機関とアドバイザー契約を締結し準備を進めている。</li> <li>②iPS神経グリア細胞については前臨床の段階であり、前臨床の実績が豊富な外部機関と提携し開発を進めている。</li> </ul>

※上記の主要なリスク以外のその他のリスクについては有価証券報告書の「事業等のリスク」を参照



# 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ます。

次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は、2024年6月を予定しています。



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3-8-11  
メットライフ新横浜ビル9F <https://reprocell.co.jp>