



平成 28 年 11 月 11 日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 リ プ ロ セ ル  
代 表 者 名 代 表 取 締 役 社 長 横 山 周 史  
(コード番号：4978)  
問 合 せ 先 取 締 役 C F O 白 井 大 祐  
(TEL. 045-475-3887)

## 台湾 Stement 社の細胞医薬品に関する共同開発および販売契約の締結による 新たな事業の開始についてのお知らせ

当社は本日、Stement Biotherapeutics Inc.（本社：台湾台北市、最高経営責任者：Ryan Chang、以下、ステミネント社）が台湾で開発中の他家由来幹細胞を用いた細胞医薬品「Stemchymal®」（ステムカイマル）の日本における共同開発および販売に関する契約を締結することを、本日開催の取締役会にて決議し、同日付で契約を締結しましたのでお知らせいたします。

### 記

#### 1. 契約の趣旨

本契約により、当社は新たな事業として日本において独占的にStemchymal®を脊髄小脳変性症の治療薬として開発すると共に、上市後も日本においてその治療薬を独占的に販売する権利を得ることとなりました。また、本権利に付随して、Stemchymal®の脊髄小脳変性症以外の適応疾患についての開発や販売に関する優先交渉権も有しております。

日本では、平成26年11月25日に「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」並びに「薬事法等の一部を改正する法律」が施行されました。これにより、日本においては治験において一定の安全性や効能が認められた場合に、治験を実施しながらも条件付きで販売を行う事が出来る「条件・期限付き承認」を得る事が可能となり、再生医療に関連した医薬品の開発を加速化する事が可能となっております。今後、当社は前述の制度を活用し、日本の法規制に沿ったStemchymal®の製品開発と臨床試験を通して早期の上市を目指す一方、ステミネント社は随時その開発をサポートしてまいります。Stemchymal®は当社が医薬品として取扱う初めての製品となり、本契約は当社にとって本格的な再生医療分野参入への大きな第一歩となります。

#### 2. 新規事業の具体的な内容

今回、当社は日本においてStemchymal®を脊髄小脳変性症の治療薬として開発および治験をおこなっていく予定です。

Stemchymal®は、厚生労働省から特定疾患（難病医療）に指定されている脊髄小脳変性症の治療薬として効果が期待されております。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あり、日本での患者数は約3万人とされている希少疾患です。さらに、本疾患に対しては、台湾とアメリカにおいて、3段階ある治験のうち既に第2段階目（第Ⅱ相）の試験を行っており、アメリカではFDAよりオーファンドラッグ指定も受けております。

ステミネント社は、台湾の国立陽明大学からスピノフした国際的なバイオ医薬品企業であり、台湾の經濟部から「バイオ新薬会社」として認可されている企業です。開発初期から後期のさまざまな開発段階のパイプ

ラインを保有しております。また、原材料調達から最終製品の製造までの特許化技術プラットフォームを自社で確立しており、未だ有効な治療法のない疾患に向けた治療薬の開発に積極的に取り組んでおります。

当社代表取締役社長の横山周史は「再生医療分野への本格的な参入の開始となる案件として、最先端の技術を駆使した細胞医薬品Stemchymal®について、ステミネント社との間で独占的な開発および販売に関する契約を締結できた事を大変喜ばしく思います。本契約によって医薬品の開発を開始することにより、当社は直接的に患者様のお役に立つ事が出来るようになります。病気に苦しむ方々のためにも細胞医薬品Stemchymal®の開発を成功させたいと考えております。」と述べるとともに「本開発や治験で得られたノウハウは、当社の次の事業戦略であるiPS細胞を用いた細胞医薬品に関する事業にも大きく貢献すると確信しており、当社の再生医療分野への本格的な参入の第一歩として、事業を加速化してまいります。」と述べております。

また、ステミネント社の社長のRyan Chang氏は「成長著しい再生医療領域で確立した地位を持つリプロセル社と協業して、日本で共に幹細胞医薬品を開発できることを大変嬉しく思います。」と述べるとともに、「特筆すべきはリプロセル社との協業を通して、当社の幹細胞を用いた治療開発品が脊髄小脳変性症に苦しむ日本の患者様にも貢献できる可能性が開かれました。」と述べております。

今後は、約1年をかけて当社とステミネント社の両社が協力して日本で製品化するための開発を行い、2017年秋～冬ごろより日本での治験の実施、2020年頃に条件・期限付承認を取得して条件付き販売を開始し、2023年頃の本承認および上市を目指してまいります。

#### 【用語説明】

- ・他家由来幹細胞・・・患者本人以外の人から採取した幹細胞
- ・FDA・・・アメリカ食品医薬品局 (Food and Drug Administration)  
     医薬品などについて、その許可や違反品の取締りなどの行政を専門的に行う政府機関
- ・オーファンドラッグ・・・希少疾病医薬品。指定を受けると、助成金の交付や審査を優先的に受けられる等の特例措置が受けられる。

### 3. 新規事業の開始のために特別に支出する金額及び内容

新規事業開始に伴い、当社はステミネント社が行う第三者割当増資を約1億円引き受けるとともに、開発のマイルストーンに応じて段階的に報酬を支払う事となり、最終的にステミネント社へ支払う報酬金額の合計は4億円を予定しております。加えて、上市後は条件に応じたロイヤリティをステミネント社へ支払う事となります。また、その他に治験費用が発生する見込みです。

### 4. 日 程

|               |                   |
|---------------|-------------------|
| (1) 契 約 締 結 日 | 平成 28 年 11 月 11 日 |
| (2) 業 務 開 始 日 | 平成 28 年 11 月 11 日 |

### 5. 相手先の概要

|               |  |
|---------------|--|
| (1) 名 称       | Steminent Biotherapeutics Inc.                       |
| (2) 所 在 地     | No. 16, WenHu Street, NeiHu Dist., Taipei            |
| (3) 代表者の役職・氏名 | 社長 Ryan Chang  |
| (4) 事 業 内 容   | 医薬品の開発、製造  |
| (5) 資 本 金     | 265 百万 TWD   |
| (6) 設 立 年 月 日 | 2007 年 12 月  |
| (7) 大株主及び持株比率 | The CID Group (26.4%)<br>Nuliv Holdings Inc. (17.9%) |

|                               |             |      |
|-------------------------------|-------------|------|
| (8) 上場会社と当該会社との間の関係           | 資本関係        | 該当なし |
|                               | 人的関係        | 該当なし |
|                               | 取引関係        | 該当なし |
|                               | 関連当事者への該当状況 | 該当なし |
| (9) 当該会社の最近3年間の連結経営成績及び連結財政状態 | 未上場企業のため非開示 |      |

#### 6. 今後の見通し

本件が当社の平成29年3月期連結業績に与える影響は軽微であると考えておりますが、開示すべき事項が発生した場合には速やかに開示いたします。

また、来期以降に与える影響に関しましては、同日に開示いたしました「中期経営計画の修正に関するお知らせ」をご確認ください。

#### 7. その他

本件の詳細に関しましては、次ページ以降に添付いたしました補足資料「台湾Steminent Biotherapeutics社の細胞医薬品に関する共同開発および販売契約 説明資料」をご覧ください。

以 上



東証JASDAQ 4978

## 株式会社リプロセル

# 台湾Steminent Biotherapeutics社の 細胞医薬品に関する共同開発および販売契約 説明資料

2016年11月11日

## 1. 本契約の内容について

- (1) 契約の概要
- (2) 脊髄小脳変性症について
- (3) 製品の開発について
- (4) ステミメント社について

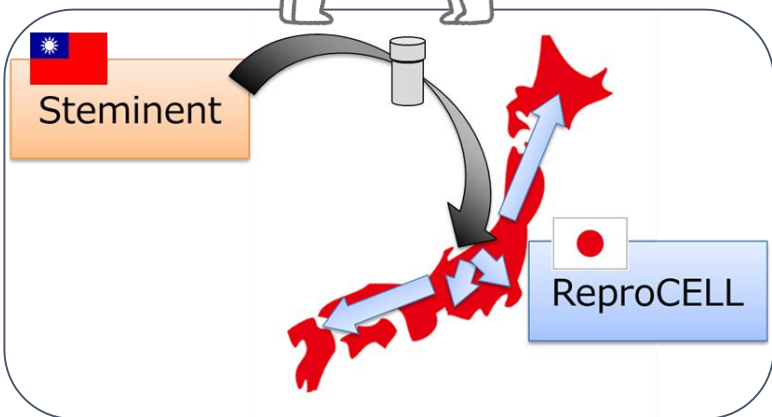
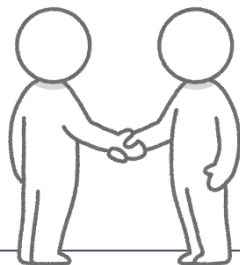
## 2. 本契約と当社の事業戦略について

- (1) 再生医療市場のポテンシャル
- (2) 事業戦略における本契約の位置付け

当社は臨床用の幹細胞等を扱う台湾のバイオ医薬品企業Steminent Biotherapeutics Inc.（ステミネント社）と、ステミネント社の持つ細胞医薬品「Stemchymal®（ステムカイマル）」を脊髄小脳変性症に対する治療薬として、日本において独占的な共同研究および販売に関する契約を締結いたしました。

Stemchymal®は脊髄小脳変性症を対象として台湾やアメリカで治験（第Ⅱ相）が進められている細胞医薬品であり、当社は脊髄小脳変性症に対する治療薬として日本の法規制に適合した製品とするための開発および治験を行ってまいります。

また、Stemchymal®は脊髄小脳変性症以外の疾患に対する治療薬としても期待されており、当社はそれらの開発や販売に関する優先交渉権も有しております。



## ①地域

日本

## ②契約の内容

Stemchymal®に関する下記の事項

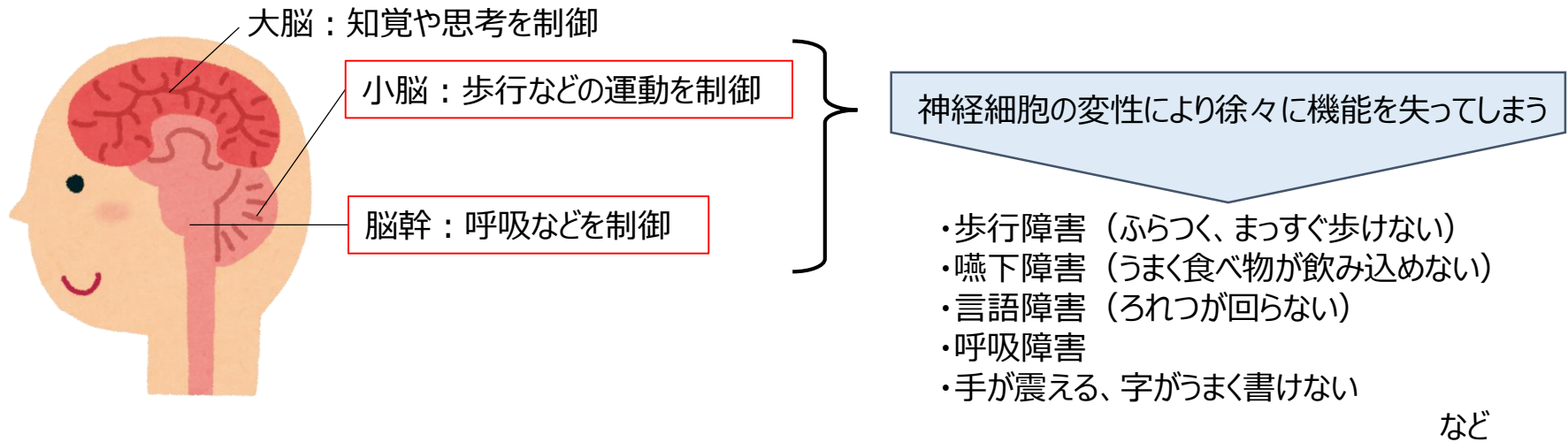
- ・脊髄小脳変性症に対する細胞医薬品としての開発および販売（独占）
- ・脊髄小脳変性症以外の疾患に対する治療薬に関する優先交渉権

## ③契約に係る費用

- ・契約一時金：約 1億円（株式取得に伴う出資）
- ・マイルストーン：合計 4億円（予定）
- ・上市後：条件に応じたロイヤリティの支払い

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や嚥下障害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あり、日本での患者数は約3万人とされている希少疾患です。

現在、ステミメント社のStemchymal®は本疾患を対象とした細胞医薬品として台湾やアメリカで治験（第Ⅱ相）が進められており、アメリカではFDA（※1）よりオーファンドラッグ（※2）指定も受けております。



※1 アメリカ食品医薬品局（Food and Drug Administration; FDA）

医薬品などについて、その許可や違反品の取締りなどの行政を専門的に行う政府機関。

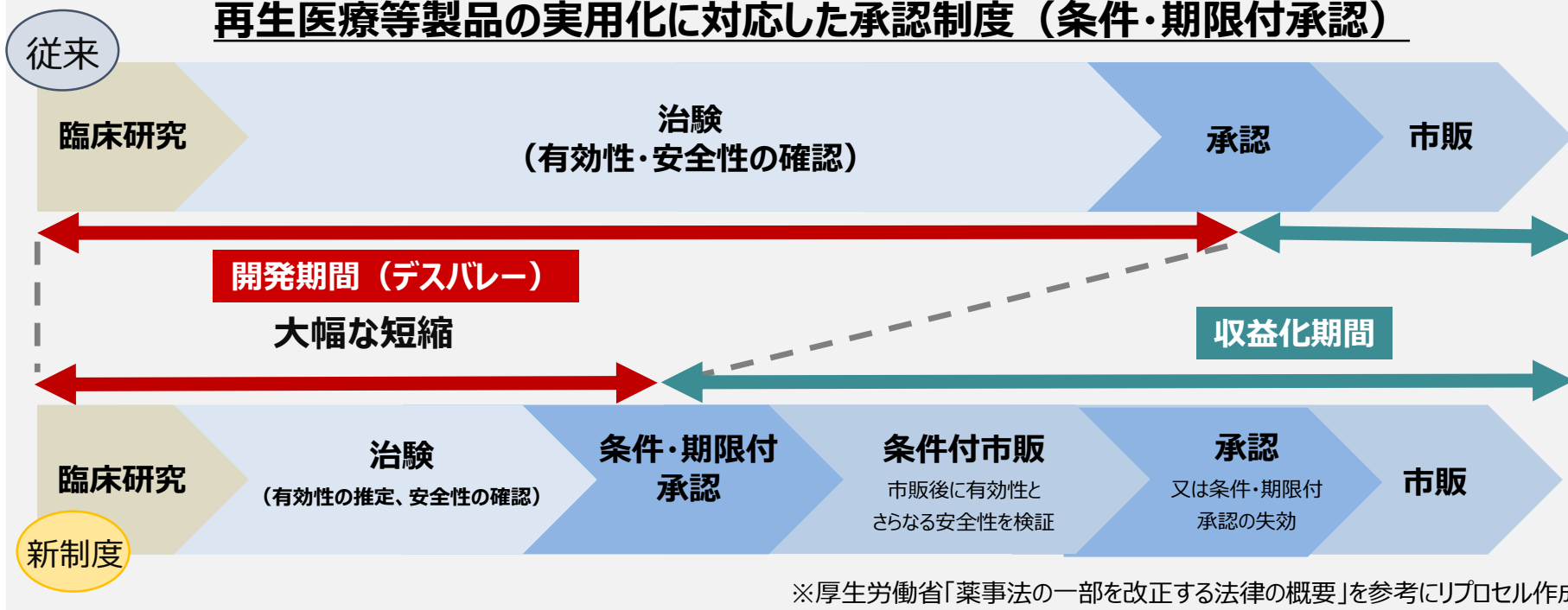
※2 希少疾病医薬品。指定を受けると、助成金の交付や審査を優先的に受けられる等の特例措置が受けられる。

平成26年11月25日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。現在様々な企業がこの制度を利用し、再生医療等製品の開発を行っています。

ステミメント社のStemchymal®も再生医療等製品に該当します。当社は、本制度を利用し、早期に収益を確保しつつ、最終的な承認を得るための手続きを進めていく予定です。

## 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」を参考にリプロセル作成

REPROCELL GROUP COMPANIES



# 1 – (3) 製品の開発について\_今後の流れとタイムライン (予定)

| 項目 \ 年度                        | 2017  | 2018   | 2019 | 2020  | 2021  | 2022 | 2023  |
|--------------------------------|---|--|------|---|---|------|---|
| ① 開発および治験の承認                   |  |  |      |   |   |      |   |
| ② 治験 (第 I / II a相)             |   |  |      |   |   |      |   |
| ③ 条件・期限付承認の取得<br>(条件付きでの販売を開始) |   |  |      |  |   |      |   |
| ④ 治験 (第 II b/III相)             |   |  |      |   |  |      |   |
| ⑤ 本承認・上市                       |   |  |      |   |   |      |  |

## ①開発および治験の承認

契約締結後、約1年間をかけて日本の法規制に適合した製品の研究開発を行い、日本での治験実施許可の取得を目指します。

## ②治験 (第 I / II a相)

許可の取得後、日本での治験を開始します。

## ③条件・期限付承認の取得 (条件付きでの販売を開始)

2020年頃を目途に条件・期限付き承認の取得を目指します。

条件付き承認を得ることにより、治験を進めながら条件付きでの販売を行うことができます。

## ④治験 (第 II b/III相) ~⑤本承認・上市

2023年頃に最終的な細胞医薬品としての承認および上市を目指します。

※本タイムラインは開発や治験等が順調に進んだ場合を想定しており、状況によっては予定が変更となる場合があります。

- 台湾の経済部から「バイオ新薬会社」として認可されているバイオ医薬品企業
- 基盤技術の発明者および共同ファウンダーは幹細胞研究の世界的権威Oscar Kuang-Sheng Lee氏



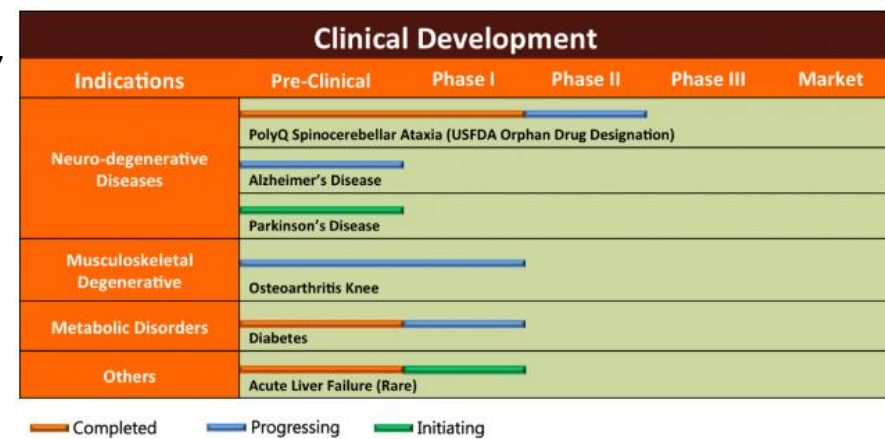
## 会社概要

## パイプライン

|     |  |
|-----|--|
| 会社名 | Steminent Biotherapeutics Inc.   |
| URL | <a href="http://www.steminent.com/">http://www.steminent.com/</a>  |
| 所在地 | 台湾台北市（本社）、中国上海、米国サンディエゴ  |
| 設立年 | 2007年  |
| 概要  | <ul style="list-style-type: none"> <li>臨床用の幹細胞等を扱うバイオ医薬品企業</li> <li>台湾で歴史のある国立陽明大学のスピンオフ企業</li> </ul>  |
| 魅力  | <ul style="list-style-type: none"> <li>治療法が確立されていない疾患の治療薬を手掛ける</li> <li>陽明大学の持つ病院からの細胞調達～医薬品の製造まで一貫して手掛ける事が可能</li> <li>Stemchymal®は現在開発中のパイプライン以外にも様々な用途で応用が期待される</li> <li>Stemchymal®の基盤技術の発明者はiPS細胞に関する研究も行っており、リプロセルとのシナジー効果が期待される</li> </ul> |

- 【神経変性疾患】
- 脊髄小脳変性症：治験（第Ⅱ相）
  - アルツハイマー病：前臨床
  - パーキンソン病：前臨床
- 【筋骨格系の変性】
- 変形性関節症：治験（第Ⅰ相）
- 【代謝障害】
- 糖尿病：治験（第Ⅰ相）
- 【その他】
- 急性肝不全：治験（第Ⅰ相）

### パイプラインの開発状況：



## 1. 本契約の内容について

- (1) 契約の概要
- (2) 脊髄小脳変性症について
- (3) 製品の開発について
- (4) ステミネット社について

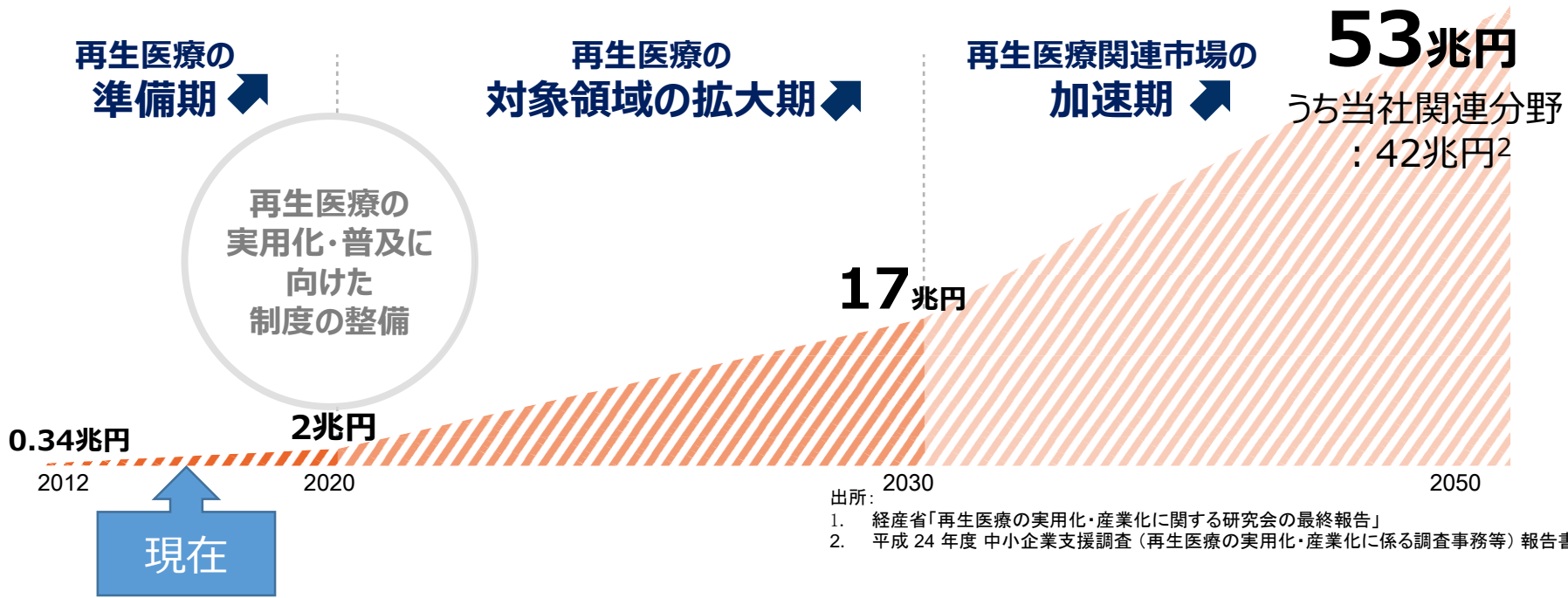
## 2. 本契約と当社の事業戦略について

- (1) 再生医療市場のポテンシャル
- (2) 事業戦略における本契約の位置付け

再生医療関連市場は2050年には50兆円規模に達すると見込まれています。

2020年までには再生医療に関する制度の整備が整い、それ以降は市場規模が大きく拡大していくと予想されており、当社は2020年以降の拡大期に向け、様々な準備を進めております。

## ■ 世界の再生医療市場の成長<sup>1</sup>



## 2 - (2) 事業戦略における本契約の位置付け

当社グループは事業を研究試薬、創薬支援、再生医療に切り分け、それぞれの分野を推進する事により、段階的な事業規模の拡大を目指しております。

今まで海外事業会社の買収・子会社化や様々な企業との提携により、iPS細胞関連の技術を積極的に取り入れるとともに、サービスや製品のラインナップを充実させ、新たなステップへの事業基盤を築いてまいりました。

これまで築いてきた事業基盤の下、本契約から本格的に細胞医薬品の開発を開始する事により、当社は新たなステージへ突入いたします。

