

2021年7月期 決算説明会資料

# 株式会社 ステムリム

代表取締役 社長執行役員 岡島 正恒



東証マザーズ上場

(東証マザーズ：4599)

2021.9.10



難病 に苦しむ 世界中 の患者さんに

笑顔 の 未来 を届けたい



本資料は、本資料の日付現在において有効な経済、規制、市場及びその他の条件に基づいており、当社又は当社の代表者のいずれも、本資料の情報が正確又は完全であることを保証するものではありません。今後の動向が本資料に含まれる情報に影響を与える可能性があります。当社又は当社の代表者のいずれも、本資料に含まれる情報を更新、改訂又は確認する義務を負いません。本資料に含まれる情報は、事前に通知することなく変更されることがあり、当該情報の変更が重大なものとなる可能性もあります。

また、本資料に記載されている将来予想に関する記述は、当社が現在入手可能な情報を勘案した上での、当社の現時点における仮定及び判断に基づくものであり、既知及び未知のリスク、不確実性その他の要因を含んでいます。当該リスク、不確実性その他の要因により、当社の実際の業績又は財務状態が、将来予想に関する記述により表示又は示唆されている将来の業績又は財務状態から大きく乖離する可能性があります。

当社以外の会社又は当事者に関連する情報又はそれらにより作成された情報は、一般的に入手可能な情報及び本資料で引用されているその他の情報に基づいており、当社は、当該情報の正確性及び適切性を独自に検証しておらず、また、当該情報に関して何らの保証もするものではありません。

本資料は、当社の関連情報の開示のみを目的として作成したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の有価証券への投資判断は、ご自身の判断で行うよう、お願いいたします。また、本資料に基づいて被ったいかなる損害についても、当社及び情報提供者は一切責任を負いかねます。

なお、本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、公開又は利用することはできません。

- ① コーポレートミッションおよび会社概要
- ② 2021年7月期における事業活動の概況
- ③ 2021年7月期決算 概況
- ④ 再生誘導医薬開発の経緯
- ⑤ 再生誘導医薬の優位性
- ⑥ 事業領域およびパイプラインの概要
- ⑦ PJ1 レダセムチドについて
- ⑧ 今後の成長戦略





Stem cell Regeneration-Inducing Medicine  
(=再生誘導医薬)

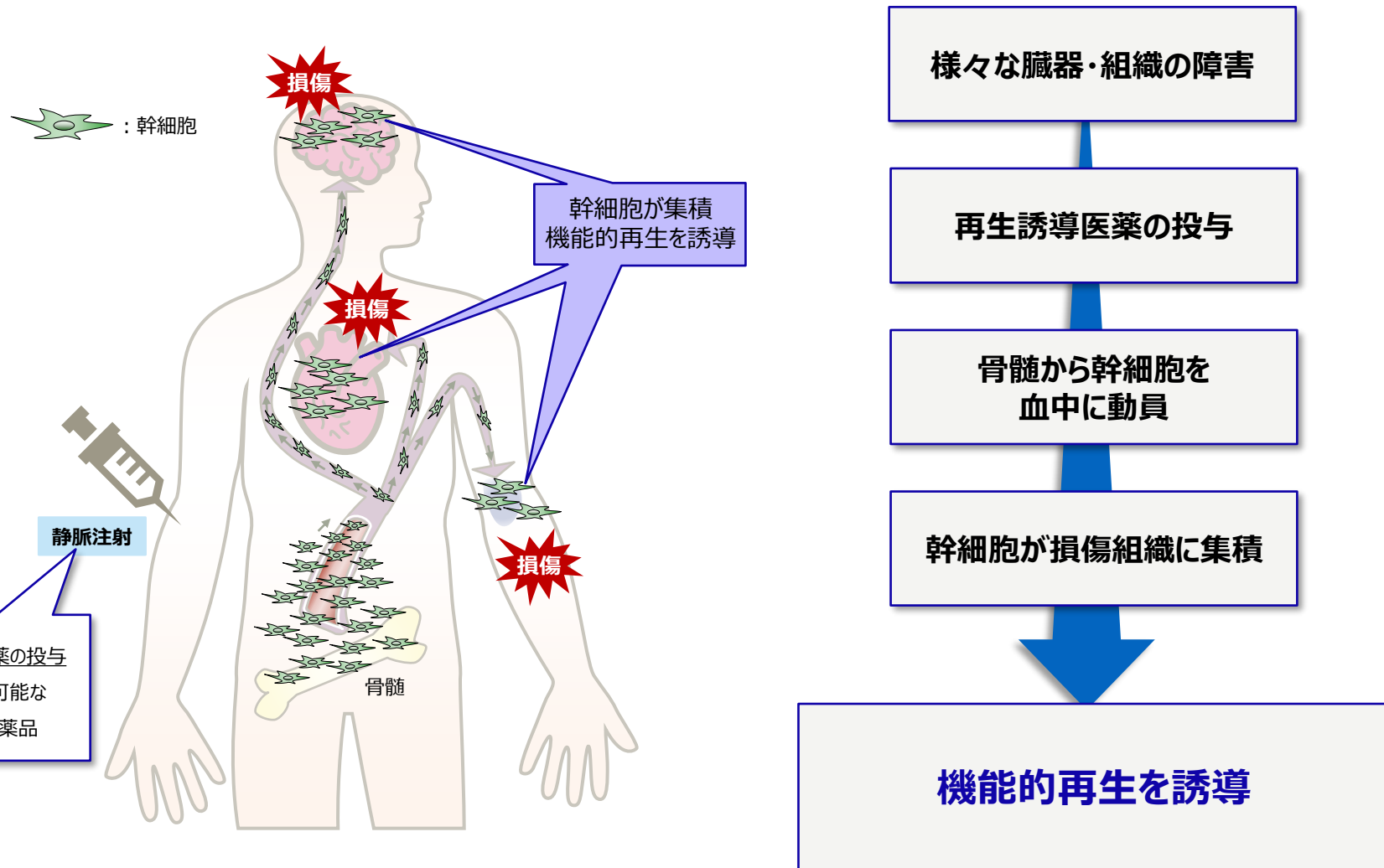
## 再生誘導で難治性疾患を克服する

株式会社ステムリムは、「再生誘導医薬」の開発を目指すバイオ企業です。

「再生誘導医薬」とは、人が本来持つ組織修復能力を最大限に引き出すことにより、機能的な組織・臓器の再生を誘導する新しい医薬品です。

日本で生まれた「再生誘導医薬」が難病に苦しむ世界中の患者の皆様に  
笑顔をお届けできる未来を目指します。

血中に動員された生体内間葉系幹細胞が損傷組織に集積し機能的再生を誘導



社名	株式会社ステムリム (StemRIM Inc.)
代表者	富田 憲介 (代表取締役) 岡島 正恒 (代表取締役)
本社住所	大阪府茨木市彩都あさぎ 7丁目7-15 彩都バイオインキュベータ 3階
設立年月	2006年(平成18年)10月30日
事業内容	再生誘導医薬の研究開発事業
役職員数	75名(2021年7月末時点)
研究開発人員	<p><b>研究職59名</b></p> <p>Ph.D 27名 その他 32名</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>*Ph.D27名には医師、獣医師含む</li> <li>*社内の有資格者としては弁理士、薬剤師を擁する</li> <li>*取締役含む</li> <li>*2021年7月末時点</li> </ul>

年月	沿革
2006年10月	大阪大学大学院医学系研究科の玉井克人教授らが同定した骨髄多能性幹細胞動員因子を医薬品として開発することを目的に会社設立
2010年4月	本社を彩都バイオインキュベータに移転。彩都ラボ開設。 塩野義製薬(株)と骨髄由来幹細胞動員因子に関する共同研究契約締結
2014年11月	塩野義製薬(株)とレダセムチド(HMGB 1 ペプチド)に関するライセンス契約締結
2015年8月	国立大学法人大阪大学にてレダセムチドに関する医師主導治験(フェーズ I)開始
2017年3月	レダセムチドに関する医師主導治験(フェーズ I)終了
2018年1月	レダセムチドに関する表皮水疱症を対象とした医師主導治験(フェーズ II)開始
2019年4月	レダセムチドに関する脳梗塞を対象とした企業治験(フェーズ II)開始(塩野義製薬(株))
2019年8月	東京証券取引所上場(マザーズ)
2020年1月	レダセムチドに関する表皮水疱症を対象とした医師主導治験(フェーズ II)データ解析結果の速報を通知
2020年6月	大阪大学・テクノアライアンス棟に再生誘導医学協働研究所(床面積1,540㎡)を開設
2020年6月	塩野義製薬(株)とレダセムチドの適応拡大(変形性膝関節症、慢性肝疾患、心筋症)に向けた新たな契約を締結
2020年11月	弘前大学において、レダセムチドに関する変形性膝関節症を対象とした医師主導治験(フェーズ II)開始
2020年11月	新潟大学において、レダセムチドに関する慢性肝疾患を対象とした医師主導治験(フェーズ II)開始
2021年2月	(株)資生堂及び大阪大学との皮膚のアンチエイジングに関する三者間共同研究契約締結

## 取締役



**代表取締役会長CEO  
富田 憲介**

ローヌ・ブーランローラー(株)(現サノフィ(株)), サンド薬品(株)(現ノバルティスファーマ(株)) 等にて新薬開発・経営戦略責任者等を歴任。アンジェスエムジー(株)(現アンジェス)代表取締役社長, オンコセラピー・サイエンス(株)代表取締役社長を経て2013年より当社取締役、2019年より現任。



**代表取締役 社長執行役員  
岡島 正恒**

(株)住友銀行(現(株)三井住友銀行), 住友キャピタル証券(株), 大和証券エスピーキャピタル・マーケティング(株), 大和証券SMBCでは、インベストメントバンカーとして主にバイオベンチャー、メディア、通信、IT業界を担当。メディシノバ・インク東京事務所代表副社長を経て2019年より現任。



**社外取締役  
澤井 典子**

CSKベンチャーキャピタル(株)にてバイオ・ライフサイエンス・IT分野のエンキューション・ハンズオン投資、株式公開支援業務に従事。(株)ディー・エヌ・エー、ヘルスケア事業本部エグゼクティブ・プロデューサーを経て、2019年より当社取締役。(一財)社会変革推進財団 インパクトオフィサー(現任)



**社外取締役  
永井 宏忠**

厚生労働省医薬食品局安全部基準課、福岡県保険福祉部業務課(出向)を経て、(独)医薬品医療機器総合機構(PMDA) 医療機器審査第一部主任専門員として医療機器の承認審査・薬事相談業務に従事。2020年より当社取締役。(株)京屋 取締役(現任), (株)ポル・メド・テック 取締役(現任)

## 執行役員



**副社長執行役員  
山崎 尊彦**

2002年弘前大学医学部生化学第2講座助手、2003年大阪大学大学院医学系研究科遺伝子治療学 産学官連携研究員等を歴任。2006年の当社設立時より研究業務に従事。2007年4月当社取締役、2010年4月当社代表取締役社長、2020年8月より現任。



**執行役員  
井本 淳一**

(株)武田リビックス(現(株)リビックス)、富士フィルム(株)にて、抗がん剤や希少疾病の医薬品開発に従事。2021年1月より当社医薬研究部長、2021年9月より現任。

## 監査役

**監査役  
久渡 庸二**

1975年米国ユニコイラル入社。1985年日本イーライリリー入社、エアンコアニマルヘルス事業部長や事業開発部長を歴任、2008年塩野義製薬 海外事業推進部部長、2017年10月より当社常勤監査役(現任)

**監査役  
水上 亮比呂**

監査法人サンワ東京丸の内事務所(現トーマツ) 公開支援部門パートナーとして、株式公開準備、上場企業の監査・財務調査等に関与。同横浜事務所所長を経て、2019年10月より当社監査役。水上亮比呂公認会計士事務所代表(現任), (株)リベルタ取締役, (株)レックスアドバイザー取締役(現任), 工藤建設(株)監査役(現任)、コージンバイオ(株)監査役(現任)

**監査役  
島田 洋一郎**

(株)住友銀行(現(株)三井住友銀行), 住友キャピタル証券(株)エクイティ部長, 大和証券SMBC(株)名古屋事業法人部部長, (株)青山財産ネットワークス監査役を経て、2019年10月より当社監査役。

1 コーポレートミッションおよび会社概要

2 **2021年7月期における事業活動の概況**

3 2021年7月期決算 概況

4 再生誘導医薬開発の経緯

5 再生誘導医薬の優位性

6 事業領域およびパイプラインの概要

7 PJ1 レダセムチドについて

8 今後の成長戦略





年月	概況
2020年9月	新潟大学および塩野義製薬との間にて、慢性肝疾患を対象とした医師主導治験（フェーズⅡ）実施に関する契約締結。
9月	AMED公募課題「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対する治療薬開発（3次公募）」採択。レダセムチドの投与による <b>COVID-19肺炎の後遺症リスク</b> を軽減する治療薬の研究開発事業を推進。
10月	塩野義製薬より、レダセムチドの適応拡大に向けた契約に係る一時金として210百万円を受領。
11月	新潟大学において、レダセムチドに関する <b>慢性肝疾患</b> を対象とした医師主導治験（フェーズⅡ）開始。
11月	弘前大学において、レダセムチドに関する <b>変形性膝関節症</b> を対象とした医師主導治験（フェーズⅡ）開始。
2021年1月	新規シーズのスクリーニング、実験動物を使用した薬効試験、生体内幹細胞集積デバイス等の試験等を行う <b>彩都本社内・動物実験施設を拡張（223㎡増床）</b> 。
2月	弘前大学において、レダセムチドに関する変形性膝関節症を対象とした医師主導治験（フェーズⅡ）の第一例目投与実施。
2月	資生堂及び大阪大学との <b>皮膚のアンチエイジング</b> に関する三者間共同研究契約締結。
3月	新潟大学において、レダセムチドに関する慢性肝疾患を対象とした医師主導治験（フェーズⅡ）の第一例目投与実施。
6月	レダセムチドの心筋梗塞に対する新規治療に係る用途特許について、カナダにおいて特許成立。
7月	レダセムチドに関する <b>急性期脳梗塞</b> を対象とした第Ⅱ相臨床試験の患者組み入れ完了。
7月	塩野義製薬より、レダセムチドの適応拡大に向けた契約に係る一時金として1,190百万円を受領。

2020年7月期、2021年7月期に設備投資を実施し、研究開発体制を強化しました



大阪大学大学院医学系研究科  
再生誘導医学寄附講座  
玉井 克人教授



共同開設

2020年6月開設



再生誘導医学協働研究所

敷地面積：1,540㎡

大阪大学内

テクノアライアンス棟6-7階



再生誘導医学協働研究所長  
遠藤誠之教授



共同研究



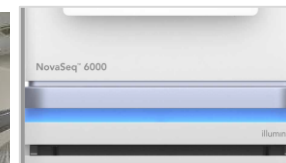
2021年1月 動物実験施設の拡充

動物実験施設敷地面積：339㎡  
+223㎡増床



代表取締役社長執行役員  
岡島 正恒

彩都本社内の社内ラボ及び動物実験施設において、再生誘導医療（医薬、デバイス等）の研究を進めています。特に医薬に関しては、新規シーズのスクリーニング、実験動物を使用した薬効試験等を行い、今後、再生誘導医薬の対象となる疾患領域の更なる拡大に寄与すると考えております。



- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況**
- 4 再生誘導医薬開発の経緯
- 5 再生誘導医薬の優位性
- 6 事業領域およびパイプラインの概要
- 7 PJ1 レダセムチドについて
- 8 今後の成長戦略



## 損益計算書の推移 前年対比

(単位：百万円)

	2020年7月期 通期実績	2021年7月期 通期実績	差異	備考
事業収益	2,100	1,400	-700	一時金の収入
研究開発費	1,356	1,523	+167	人員増／実験施設拡張費用 共同研究費の増加
事業費用	1,684	1,993	+309	
営業利益	415	△593	-1,009	
営業外収益	13	12	0	AMED助成金 12
営業外費用	67	2	-64	
特別利益	—	7	+7	新株予約権戻入益 7
税引前当期純利益	361	△576	-937	
役職員数	63名	75名	+12	

\* 人数は、役員＋従業員の期末在職者数

## 通期業績予想との差異

(単位：百万円)

	2021年7月期 業績予想 (期初)	2021年7月期 通期実績	差異	備考
事業収益	2,300	1,400	-900	一部の開発マイルストーンが2022年7月期以降になる見込み
研究開発費	1,679	1,523	-156	新動物実験施設の工事費用削減 研究員増加により、外部委託していた研究業務を内製化したことによる外注費削減
事業費用	2,161	1,993	-168	
営業利益	138	△593	-731	
営業外収益	—	12	+12	AMED助成金 12
営業外費用	—	2	+2	
特別利益	—	7	+7	新株予約権戻入益 7
税引前当期純利益	135	△576	-711	

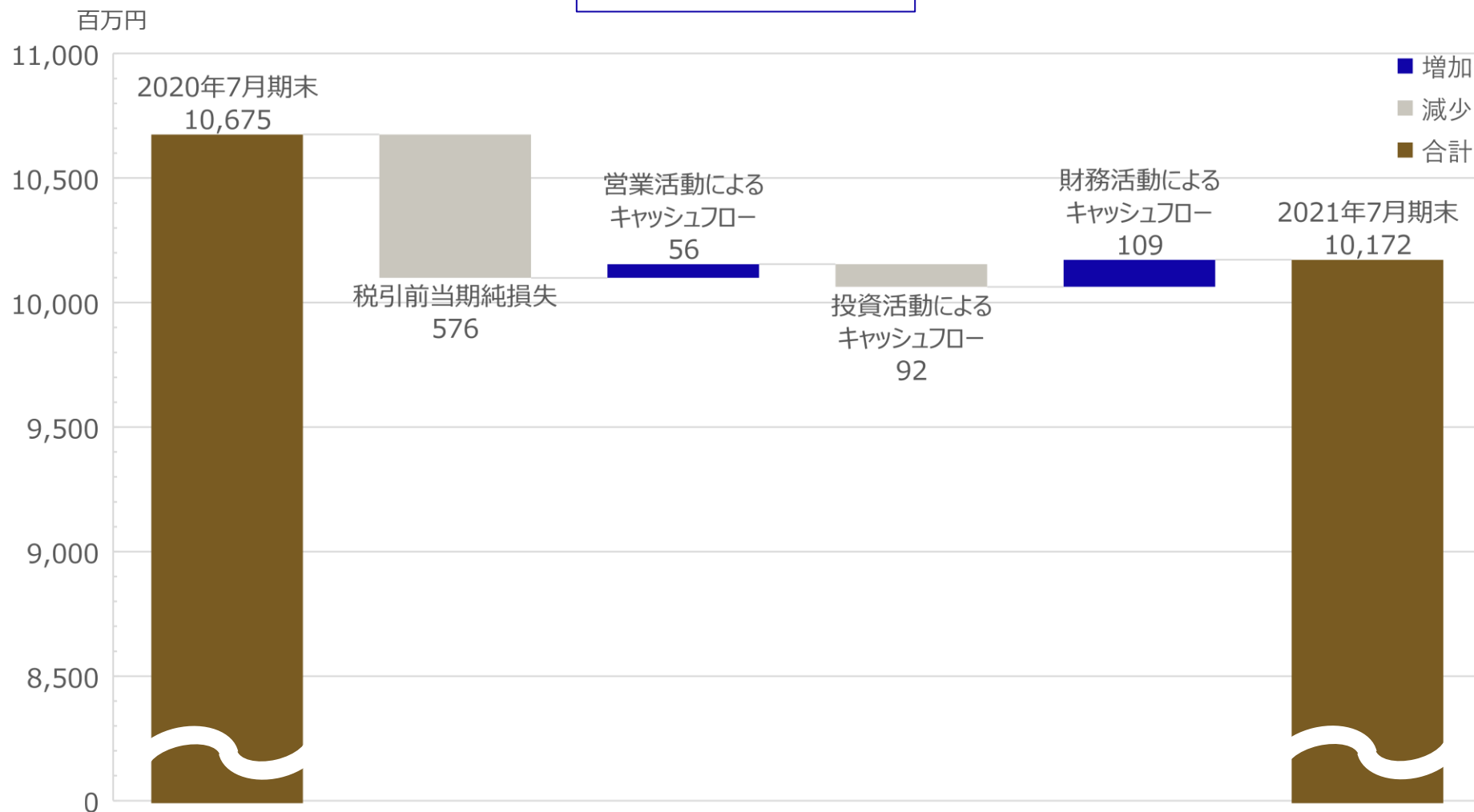
\* 2020年9月10日公表した2020年7月期決算短信記載の業績予想（期初予想）から、2021年7月15日付で修正しました

**キャッシュフロー計算書の概要 前年対比**

(単位：百万円)

	2020年7月期 通期実績	2021年7月期 通期実績	2021年7月期 備考
税引前当期純利益	361	△576	
営業活動によるキャッシュフロー	575	△519	株式報酬費用+324、減価償却費+43 未払金減少203、未収消費税増加37 未払消費税減少61
投資活動によるキャッシュフロー	△153	△92	有形固定資産の取得△89
株式の発行による収入	7,769	112	ストックオプションの行使による 新株発行+112
財務活動によるキャッシュフロー	7,757	109	
現金及び現金同等物の増減額	8,178	△503	
現金及び現金同等物の期首残高	2,496	10,675	
現金及び現金同等物の期末残高	10,675	10,172	

## 現預金増減の内訳



2026年までの研究開発活動のための十分な資金を確保

## 貸借対照表の概要 前期末対比

(単位：百万円)

	2020年7月期末	2021年7月期末	差異	備考
現金及び預金	10,675	10,172	-503	
流動資産	10,966	10,497	-469	
固定資産	314	411	+97	主に彩都本社拡張による有形固定資産+94
資産合計	11,281	10,909	-372	
流動負債	354	87	-266	未払金△203 未払消費税△61
固定負債	76	125	+48	資産除去債務増加+48
負債合計	431	212	-218	
純資産合計	10,850	10,696	-153	利益剰余金△582 新株予約権+316
負債純資産合計	11,281	10,909	-372	

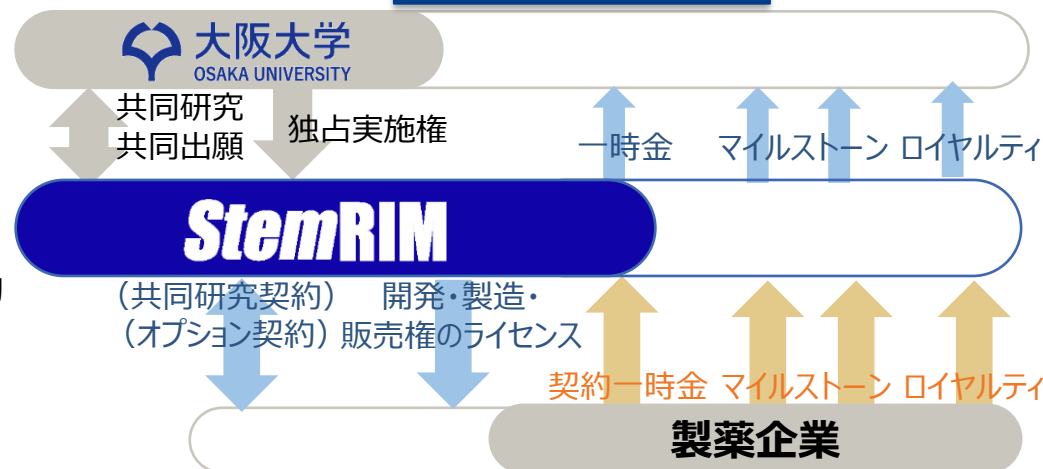


現時点では合理的な業績予想の算定が困難であることから、具体的な数値を開示しておりません

## 当社のビジネスモデル

### 開示を行わない理由

- 当社における現在の事業収益は開発進捗に伴うマイルストーン収入がその大半を占めており、これらの収入は提携先の開発戦略及び開発スケジュールに大きく依存
- 当社がマイルストーン収入を受領する時期を予想することは困難であり、事業年度ごとの事業収益額に大きな変動が生じる可能性がある



## 2022年7月期 研究進捗の見込み

- レダセムチドについて、臨床試験及び適応拡大に向けた研究開発が進捗
- レダセムチドに続く再生誘導医薬開発候補品について、臨床試験及びライセンスアウトにむけた交渉が引き続き進捗

## 2022年7月期現金支出(見込み)

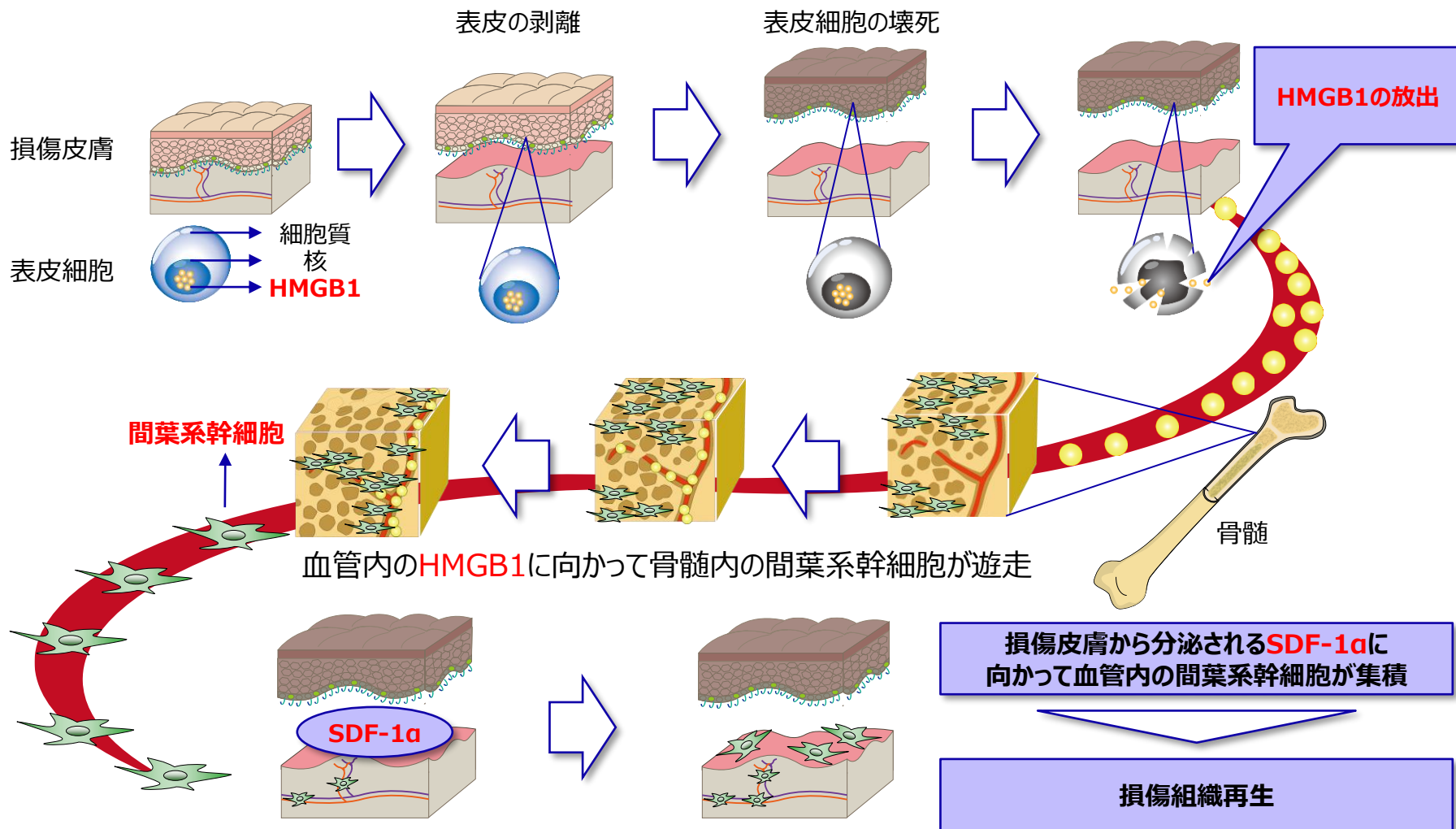
研究開発に係る現金支出	1,200百万円～1,500百万円
一般管理費に係る現金支出	230百万円～300百万円

- 新規提携に伴う一時金が発生する可能性
- 導出済みのパイプラインについて、既存の提携先からのマイルストーン収入が発生する可能性
- 2026年までの研究開発活動のための十分な資金を確保

- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況
- 4 再生誘導医薬開発の経緯**
- 5 再生誘導医薬の優位性
- 6 事業領域およびパイプラインの概要
- 7 PJ1 レダセムチドについて
- 8 今後の成長戦略

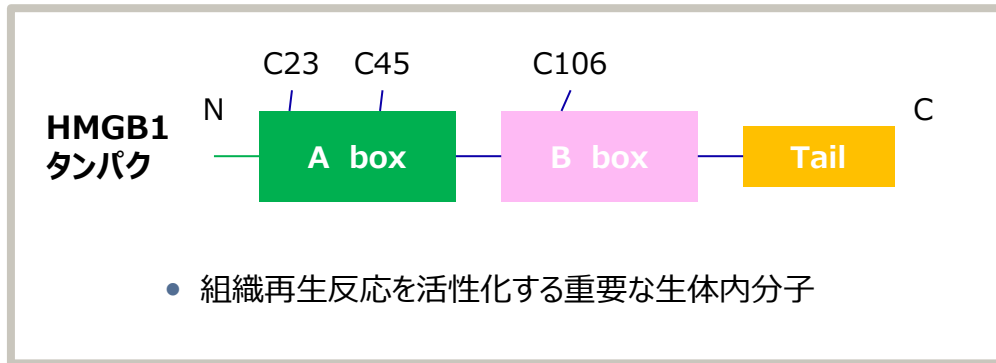


## 壊死組織由来因子を介した損傷皮膚と骨髄内間葉系幹細胞のクロストークメカニズムを発見



参考文献:  
J Immunol. 2015 Feb 15;194(4):1996-2003  
Proc Natl Acad Sci U S A. 2011 Apr 19;108(16):6609-14.

## HMGB1タンパクのA-Boxドメインを化学合成して安全性の高いペプチド医薬を創製



タンパク内ドメイン  
の機能を特定

大阪大学 玉井克人教授



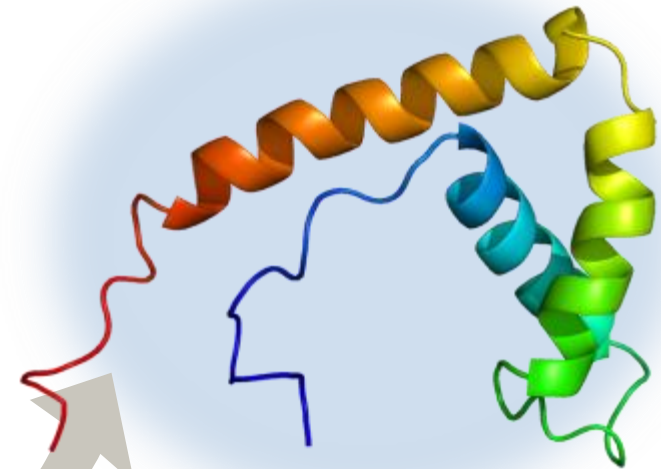
A box

骨髄性間葉系幹細胞活性化ドメイン  
(KOI2ドメイン)

B box

炎症反応を誘導する自然免疫活性化ドメイン

HMGB1タンパク-KOI2ドメイン  
から得られたHMGB1ペプチド



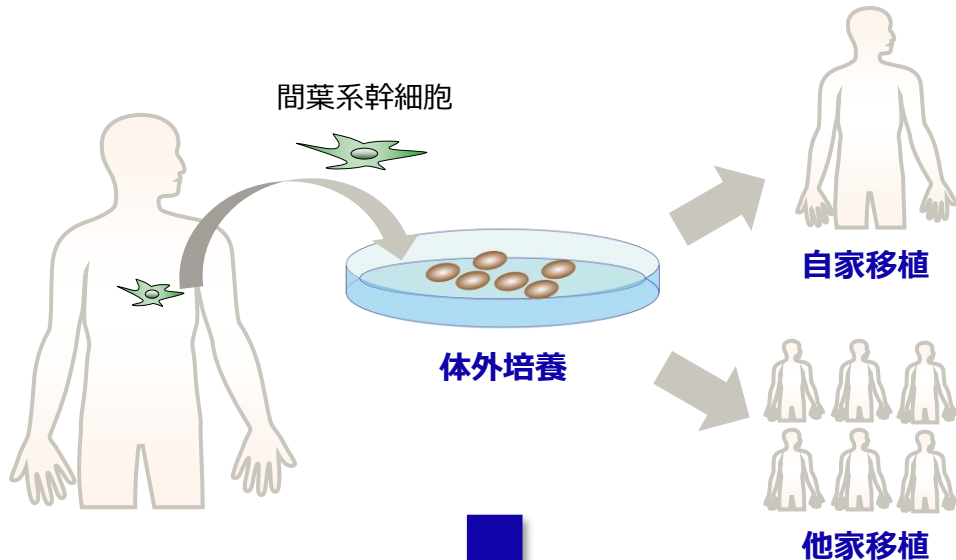
・HMGB1タンパクの副作用要因を排除  
したHMGB1ペプチド医薬品

- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況
- 4 再生誘導医薬開発の経緯
- 5 再生誘導医薬の優位性**
- 6 事業領域およびパイプラインの概要
- 7 PJ1 レダセムチドについて
- 8 今後の成長戦略



体外培養を行う過程で間葉系幹細胞は機能低下を生じるが、再生誘導医薬はこれを回避

## 従来の細胞医薬品の製造工程

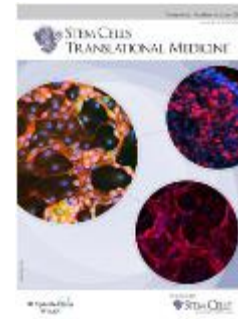


間葉系幹細胞は、生体外で培養される過程で  
間葉系幹細胞としての機能を喪失

(出所) Stem Cell Research & Therapy 2018,9:131



「MSCs細胞治療における効果は、炎症抑制効果と残存する細胞への成長因子の供給にとどまる」  
との報告(Caplan AI)



「Mesenchymal Stem Cells:  
Time to Change the Name!」

Arnold Caplan  
June 2017

(出所) Stem Cells Transl Med. 2017 Jun;6(6):1445-1451. doi: 10.1002/sctm.17-0051. Epub 2017 Apr 28.

## 再生誘導医薬は従来型の細胞治療と化合物医薬品の両者の長所を兼ね揃える

		再生誘導医薬	細胞治療	化合物医薬品
有効性	<b>組織再生</b>	大規模な組織損傷にも対応できる	大規模な組織損傷にも対応できる	失った組織を再生することはできない
	<b>作用機序</b>	生体内に備わる組織再生機能を活用	細胞の生理活性を利用するため、効果や作用メカニズムが予想しやすい	作用メカニズムを予想しにくく、想定外の副作用を招くリスクがある
	<b>適応症</b>	同一の化合物で広い適応症をカバーできる可能性	同一の技術プラットフォームで広い適応症をカバーできる可能性	一般に限定された疾患メカニズムに対してのみ効果を有する
安全性	<b>侵襲性</b>	投与するのは本人の幹細胞を動員する化合物医薬品であり、免疫拒絶がない	細胞の採取や移植による患者負担が大きい 他家移植では免疫抑制が必要	薬剤投与による侵襲性は低い
品質	<b>品質管理</b>	化合物であるため、品質管理された安定生産が可能	対外培養操作により細胞が変質(癌化)するリスク有	品質管理が容易で保存安定性も高い
その他	<b>コスト</b>	工業的な計画生産が可能	細胞採取や培養操作、CPCの運営などで大きな製造コストがかかる	大量工業生産により製造コストが安い
	<b>薬事規制</b>	一般的な化合物医薬品の規制に準拠	規制ルールが未整備で不透明 厳格な製造管理への対応が困難	規制項目が定式化しており、対応自体は容易

- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況
- 4 再生誘導医薬開発の経緯
- 5 再生誘導医薬の優位性
- 6 事業領域およびパイプラインの概要**
- 7 PJ1 レダセムチドについて
- 8 今後の成長戦略





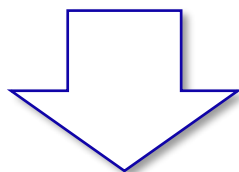
## PJ1：レダセムチド（HMGB1ペプチド）の開発が先行、長期的成長を担うPJも多数進行中

開発コード	内容	適応症	開発主体	開発段階					導出契約先	
				探索	非臨床	第I相試験	第II相試験	第III相試験		
PJ1	-01	HMGB1の骨髄間葉系幹細胞 動員活性ドメインペプチド (HMGB1ペプチド)  一般名：レダセムチド	表皮水疱症	大阪大学					第II相終了後承認申請予定	塩野義製薬 (S-005151)
	-02		脳梗塞 (急性期)	塩野義製薬					患者登録完了	
	-03		心筋症 (虚血性心筋症・ 拡張型心筋症)	大阪大学					第II相試験準備段階	
	-04		変形性膝関節症	弘前大学					第II相試験実施中	
	-05		慢性肝疾患	新潟大学					第II相試験実施中	
PJ2	-01	RIM3	潰瘍性大腸炎 アトピー性皮膚炎	自社 (提携予定)						-
	-02	再生誘導医薬新規ペプチドA	複数の組織損傷疾患	自社 (提携予定)						-
	-03	再生誘導医薬新規ペプチドB	複数の組織損傷疾患	自社 (提携予定)						-
PJ3	-01	生体由来再生誘導タンパク	複数の組織損傷疾患	自社 (提携予定)						-
PJ4	-01	治療用自己細胞採取デバイス	難治性潰瘍骨軟骨性疾患	自社 (提携予定)				ND		-
PJ5	-01	幹細胞遺伝子治療	表皮水疱症	自社 (提携予定)			第I/II相試験		なし	-

- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況
- 4 再生誘導医薬開発の経緯
- 5 再生誘導医薬の優位性
- 6 事業領域およびパイプラインの概要
- 7 PJ1 レダセムチドについて**
- 8 今後の成長戦略



骨髄間葉系幹細胞動員医薬レダセムチド  
(HMGB1ペプチド)において、  
栄養障害型表皮水疱症患者を対象とした  
第II相医師主導治験にて  
治療効果の長期持続性が確認



生体内に存在する幹細胞を、  
体外に取り出すことなく、  
怪我や病気で損傷した組織に局所動員し、  
機能的組織再生を誘導する  
「再生誘導医薬」のコンセプトの証明

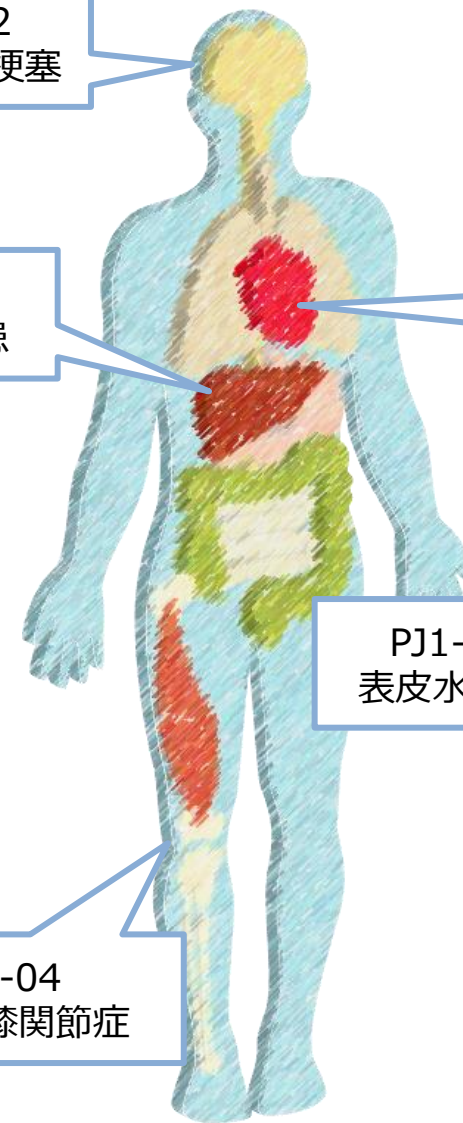
PJ1-02  
急性期脳梗塞

PJ1-05  
慢性肝疾患

PJ1-03  
心筋症

PJ1-01  
表皮水疱症

PJ1-04  
変形性膝関節症



## 急性期脳梗塞

- ・脳梗塞とは血栓などにより、脳の血管が突然つまって血流が途絶え、脳の細胞が死んでしまう疾患
- ・早期に適切な治療を受けないと後遺症をきたしたり、死亡してしまう可能性も

## 脳梗塞の市場規模(国内)

約18.7万人

※Circ J 2017; 81: 1636-1646より脳梗塞年間発症数を推定

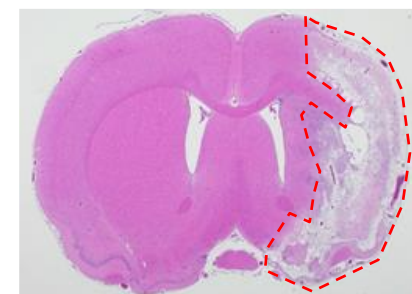
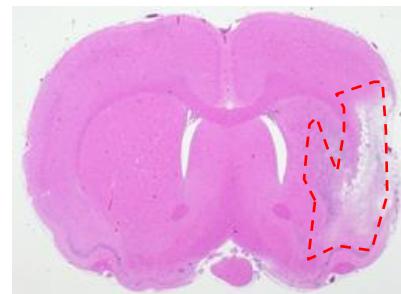


## モデル動物による成果

### 梗塞巣の縮小を確認

レダセムチド投与

コントロール



(出所) 当社と大阪大学との共同研究

(HE染色)

梗塞巣

## 従来 of 治療法

発生～4.5時間

### 血栓溶解療法 (t-PA静注療法)

血栓溶解薬 (t-PA) を投与することによって血栓を溶かして血流を再開させる治療法

発生～8時間

### 機械的血栓回収療法

カテーテル・血栓回収デバイスを用いて血栓を回収する治療法

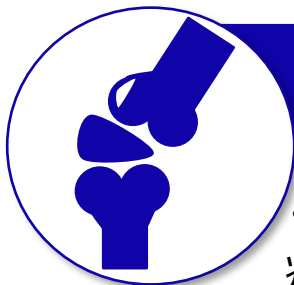
早期治療が困難な場合を想定し、より時間的制約が緩和された新薬の開発が望まれている

治験概要		
治験名称	レダセムチドの急性期脳梗塞患者を対象とした第Ⅱ相二重盲検比較試験	
デザイン	対象疾患	急性期脳梗塞
	試験実施者	塩野義製薬株式会社
	試験終了予定日	2021/9/30
	用法	静脈内点滴投与、1日1回、5日間
	目標症例数、対象	150例（60～84才の男女）
	適格基準	<ul style="list-style-type: none"> <li>・核磁気共鳴画像法（MRI）検査でテント上を主梗塞部位とした脳梗塞であると診断された患者</li> <li>・<b>脳梗塞発症4時間30分後から24時間以内</b>に登録できる患者 他</li> </ul>
評価項目	<b>有効性を投与開始90日後のmRSにて評価</b> 安全性（有害事象の発現）及び有効性（各評価時点でのmRS）	
現状	実施中（2021年7月患者登録完了）	

※mRS = modified Rankin Scale

脳卒中または神経障害の他の原因に苦しんでいる人々の日常活動における障害または依存の程度を測定するために一般的に使用されるスケール

※臨床試験情報より（<https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/common/Top.jsp>）



## 変形性膝関節症

- ・膝関節軟骨の摩耗により膝の形が変形、痛みや腫れをきたす疾患
- ・重度の症例では歩行困難になることも
- ・QOL (Quality of Life)の低下に伴い、日常生活動作の低下が顕著に

### 変形性膝関節症の市場規模 (国内)

自覚症状を有する患者数：約1,000万人<sup>※1</sup>  
 潜在患者数：約2,500万人<sup>※2</sup>

※1 「介護予防の推進に向けた運動器疾患対策について 報告書」

※2 International Journal of Epidemiology 2010;39:988-995

### 従来の治療法

#### 保存療法

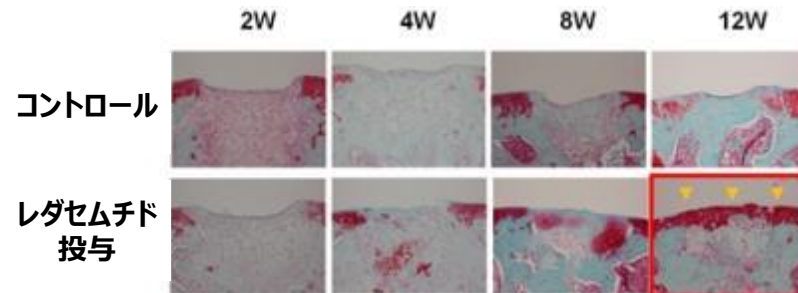
運動療法、装具療法、NSAIDs等による炎症の抑制  
 ステロイド・ヒアルロン酸注射による機械刺激緩和

#### 手術療法

人工膝関節置換術、高位脛骨骨切り術

### モデル動物による成果

#### 軟骨再生を確認



サフラニンの染色

(出所) 当社と大阪大学との共同研究

損傷を受けた関節軟骨は自己修復しにくいことが知られており、**損傷した軟骨組織の修復促進、あるいは人工関節置換術への移行を回避できるような新たな治療法の開発**が望まれている

治験概要		
治験名称	レダセムチドの変形性膝関節症を対象とした第Ⅱ相二重盲検比較試験	
デザイン	対象疾患	変形性膝関節症
	試験実施者	弘前大学医学部附属病院 整形外科 石橋 恭之
	試験終了予定日	2022/12/31
	用法	非公開
	目標症例数、対象	20例 (20～69才の男女)
	適格基準	・試験で定める手術（高位脛骨骨切り術及び鏡視下マイクロフラクチャー）を予定している内側型変形性膝関節症患者 他
評価項目	有効性を <b>形態学的評価（MRI撮像などによる評価）</b> 及び <b>機能評価（KOOSなどの各評価指標による評価）</b> にて評価。 安全性（有害事象の発現）	
現状	実施中（2021年2月第1例目投与）	

※ KOOS = Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score  
膝関節損傷と変形性関節症の転帰をはかるスコアの一つ

※臨床研究実施計画・研究概要公開システムより (<https://jrct.niph.go.jp/>)



## 慢性肝疾患

B型、C型肝炎ウイルスなどに  
起因するウイルス性肝炎  
生活習慣に起因する慢性肝障害



**肝硬変**

↓

肝臓内の細胞外基質が  
過度に蓄積された線維化へ至る  
→肝機能低下、門脈圧亢進、発癌など

慢性肝疾患の市場規模（国内）

肝硬変の患者数：40～50万人



### モデル動物による成果

2021年3月11日プレスリリース

第20回日本再生医療学会総会において、  
新潟大学大学院医歯学総合研究科消化器  
内科学分野の寺井教授らの研究グループから、  
**レダセムチドの肝硬変モデルに対する良好な  
治療効果を示す非臨床試験の結果が発表**

**顕著な抗炎症効果と線維化改善効果及び  
肝機能の改善効果を確認**

### 従来の治療法

線維化の進行した肝硬変は、肝移植を除き、  
完治が期待できる治療法は確立されていない

肝移植は有効な治療法ですが、臓器のドナー不足は深刻であり  
移植医療に頼らない新たな肝線維化改善薬や組織再生促進薬の開発が期待されている



治験概要		
治験名称	レダセムチドの慢性肝疾患患者を対象とした第Ⅱ相試験	
デザイン	対象疾患	慢性肝疾患
	試験実施者	新潟大学医歯学総合病院 消化器内科 寺井 崇二
	試験終了予定日	2023/2/28
	用法	静脈内点滴投与、28日間に4又は7回投与
	目標症例数、対象	10例（20～79才の男女）
	適格基準	<ul style="list-style-type: none"> <li>・一定以上の肝硬度が進展している慢性肝疾患患者</li> <li>・Child-Pughスコアが7点以下 他</li> </ul>
評価項目	有効性（肝硬度の変化率、Child-Pughスコアの変化量など）及び 安全性（有害事象の発現）	
現状	実施中（2021年3月第1例目投与）	

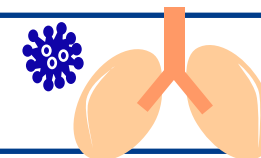
※Child-Pughスコア=肝障害度を示す指標。肝性脳症、腹水、血清ビリルビン濃度、血清アルブミン濃度、プロトロンビン時間延長又はPT-INRの5項目を1～3点で評価。


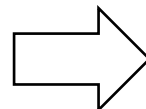

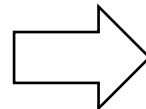

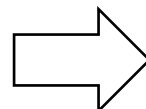
※臨床研究実施計画・研究概要公開システムより (<https://jrct.niph.go.jp/>)

期間：2020年10月15日～2021年3月31日

## COVID-19肺炎

重症化すると肺胞上皮細胞や肺胞周囲の血管内皮細胞が不可逆的に傷害され、  
肺炎治癒後も肺機能障害が長期の後遺症として残ります。



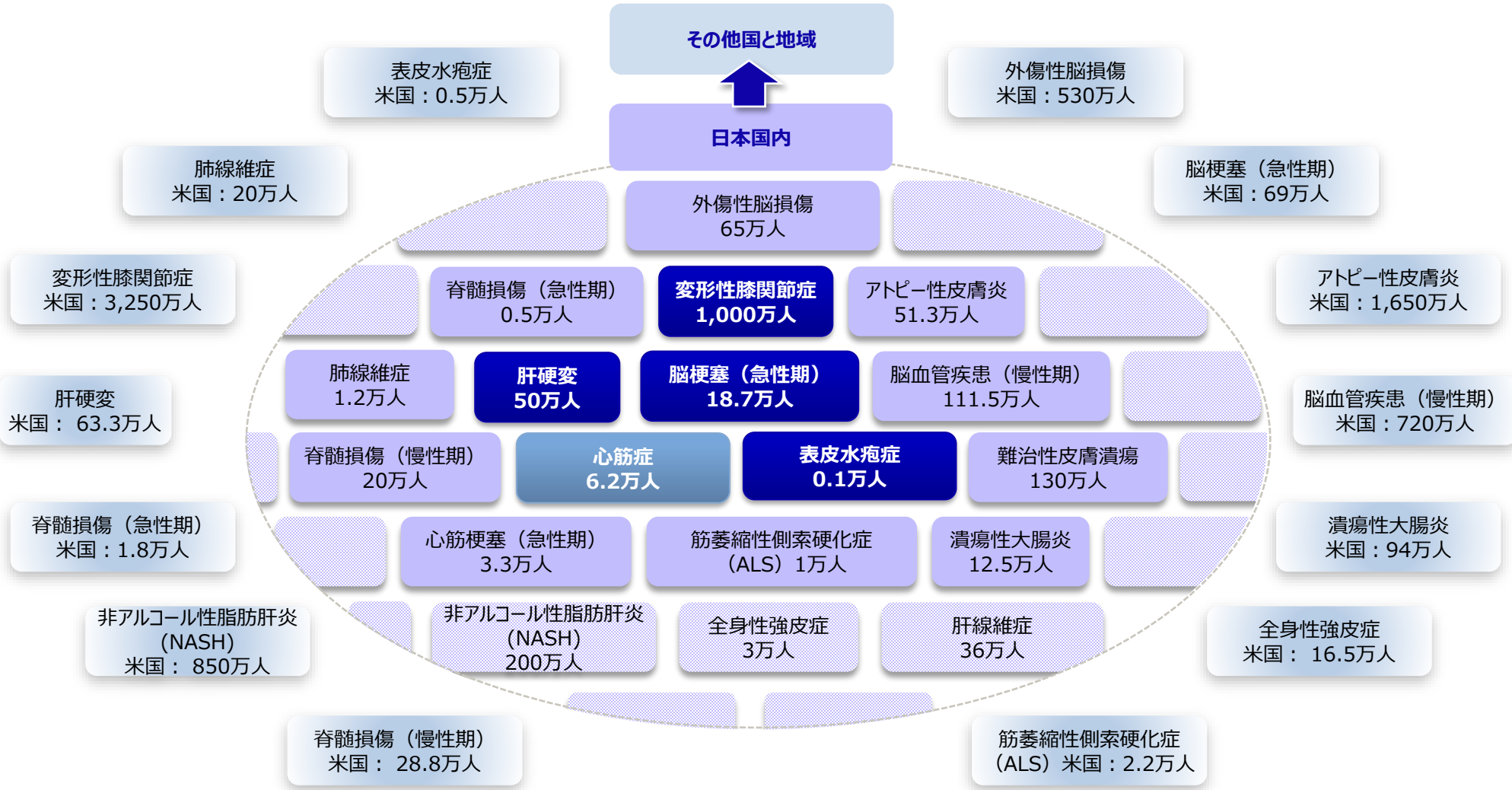
レダセムチド投与による効果		レダセムチドの作用
<p>肺線維症モデル</p>  	<p>ハイドロキシプロリン量<sup>※</sup>を最大70%統計学的に有意に抑制 病理組織学的評価で線維化スコアの低下 <small>※肺中コラーゲンの指標</small></p> <p>臨床において重視される肺機能検査 経皮的動脈血酸素飽和度（SpO2）の改善傾向を確認</p>	抗線維化作用
<p>急性炎症肺炎モデル</p>  	<p>肺中のサイトカイン量・炎症細胞数が低下傾向</p> <p>COVID-19後遺症の急性炎症亢進によるコロナ肺炎に 対するレダセムチドの有効性を示唆</p>	抗炎症作用
<p>パラボオーシスマウスモデル</p>  	<p>レダセムチドにより誘導される間葉系幹細胞が 損傷肺のAce2陽性2型肺胞上皮に分化し、 肺胞機能の再生に寄与</p>	上皮組織を 再生する作用

- 1 コーポレートミッションおよび会社概要
- 2 2021年7月期における事業活動の概況
- 3 2021年7月期決算 概況
- 4 再生誘導医薬開発の経緯
- 5 再生誘導医薬の優位性
- 6 事業領域およびパイプラインの概要
- 7 PJ1 レダセムチドについて
- 8 **今後の成長戦略**

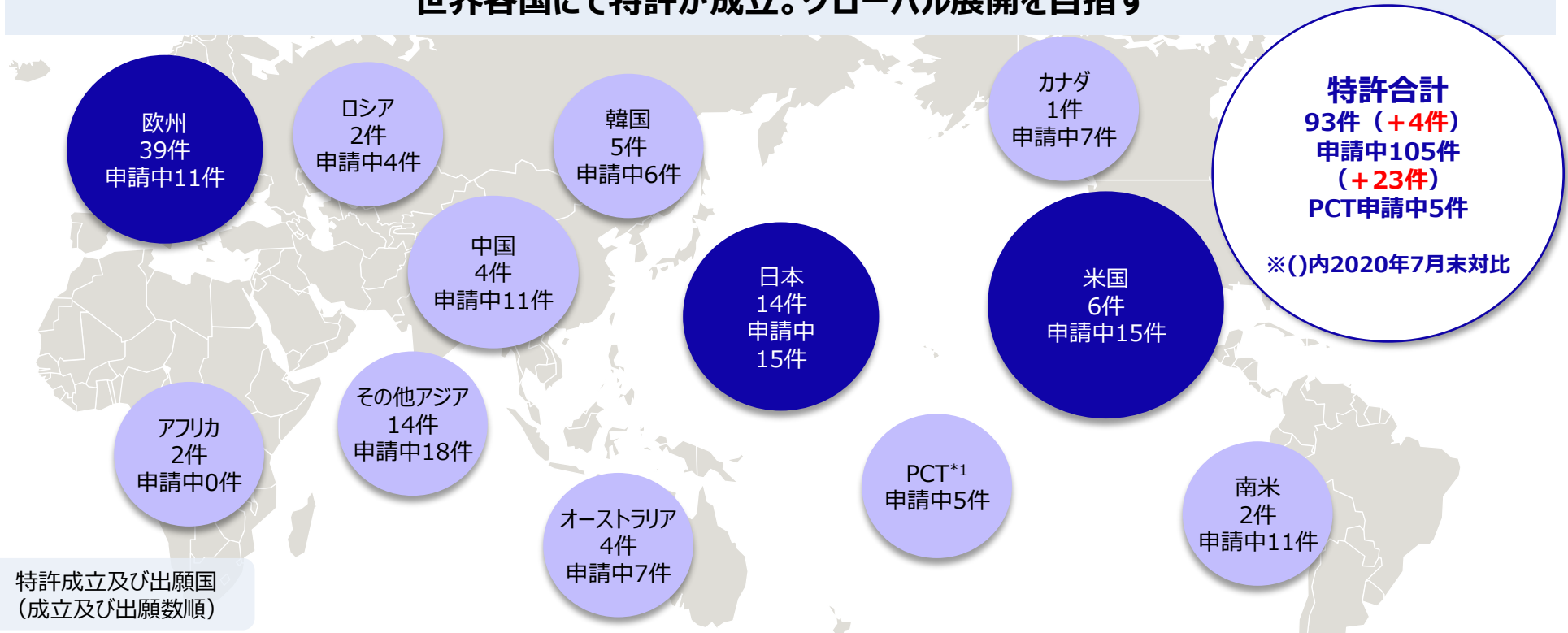


## MSCでの治療効果が見込める領域すべてがターゲット

- : 2021年中の治験開始を目指す
- : 臨床開発中である適応症領域



## 世界各国にて特許が成立。グローバル展開を目指す



特許成立及び出願国  
(成立及び出願数順)



\*1 : PCT:特許協力条約加盟国

注 : 2021年7月末時点

## 再生誘導技術基盤を強化し、再生誘導医薬の普及を加速していく

彩都本社・外観



彩都本社内・動物実験施設  
を339㎡まで拡張。  
(+223㎡増床)

## 再生誘導医薬 の潜在価値最大化

### 動物実験施設の拡張

モデル動物薬効の迅速な確認と薬事戦略立案

### 再生誘導医学協働研究所の設立

新たな再生誘導医薬候補の発掘加速

大阪大学敷地内に  
1,540㎡の研究所  
を10年間確保済

役職員数  
39名→75名 (+36名)  
2019年期末→2021年期末

### 事業拡大のための人員確保

マンパワー不足の解消

再生誘導医学協働研究所

### パイプラインの研究開発推進

パイプラインの進捗加速

再生誘導技術基盤の  
強化方針

