



Emerging Bio-medical Technology

MEDI+NET

2018年9月期

決算説明会資料

2018年11月20日

株式会社メディネット

証券コード2370

目次

1. 2018年9月期 トピックス

代表取締役 会長兼社長 木村 佳司

2. 2018年9月期 通期業績 2019年9月期通期業績予想

経営管理部長 落合 雅三

3. 研究・開発

執行役員 再生医療等製品事業部長 池田 昇司

4. 2019年9月期 経営ビジョン

代表取締役 会長兼社長 木村 佳司



2018年9月期トピックス

代表取締役 会長兼社長 木村 佳司

2017年（2018年9月期第1四半期）

| | |
|--------|---|
| 10月2日 | 新横浜細胞培養加工施設および大阪細胞培養加工施設の特定細胞加工物製造許可取得 |
| 10月2日 | 第三者割当による行使価額修正条項付第12回新株予約権の大量行使及び月間行使 |
| 10月13日 | 第三者割当による行使価額修正条項付第12回新株予約権の月間行使状況及び行使完了 |
| 10月23日 | 見和中央クリニックと特定細胞加工物製造に関する契約を締結 |
| 11月10日 | 個別決算における貸倒引当金繰入額の計上 |
| 11月10日 | 固定資産の減損損失の計上 |
| 11月10日 | 平成29年9月期 決算短信〔日本基準〕 |
| 11月13日 | 樹状細胞ワクチンは高い抗腫瘍効果を示し、免疫チェックポイント阻害剤との併用治療による腫瘍縮小効果の向上が期待できる研究成果が国際ジャーナルに掲載 |
| 11月16日 | 2017年9月期 決算説明会資料発表 |
| 11月22日 | 2017年9月期 決算説明会動画配信 |
| 11月29日 | 特別利益（投資有価証券売却益）の発生 |
| 12月20日 | 当社コーポレートサイトが全上場企業ホームページ充実度ランキングで3年連続「最優秀サイト」に、Gomez IR サイトランキングで2年連続「銅賞」に選定 |
| 12月21日 | ヒストジェニックス社と自己培養軟骨「NeoCart」のライセンス契約を締結 |

2018年（2018年9月期第2四半期）

| | |
|-------|--|
| 1月26日 | 第三者割当による転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債及び行使価額修正条項付第13回新株予約権の発行 |
| 2月13日 | 第三者割当による転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債及び行使価額修正条項付第13回新株予約権の発行に係る払込完了 |
| 2月13日 | 平成30年9月期 第1四半期決算短信〔日本基準〕 |
| 2月13日 | 2018年9月期第1四半期決算ハイライト発表 |
| 2月14日 | 2018年9月期 第1四半期報告 |
| 3月22日 | 独立行政法人国立病院機構と成人T細胞白血病を対象とした樹状細胞ワクチンの再生医療等製品としての製造販売承認取得を目的とした共同開発契約を締結 |

2018年9月期 トピックス

2018年（2018年9月期第3四半期）

| | |
|-------|--|
| 4月2日 | 第三者割当による転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債の月間転換状況 |
| 4月11日 | 第三者割当による転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債転換完了 |
| 4月27日 | 営業外費用の計上 |
| 4月27日 | 個別決算における貸倒引当金繰入額の計上 |
| 4月27日 | 特別損失（貸倒引当金繰入額）の計上並びに第三者割当による新株予約権の発行に関する資金使途および支出予定時期の変更 |
| 4月27日 | 平成30年9月期連結業績予想の修正および役員報酬減額 |
| 4月27日 | ACCEPT 2021 構造改革の決定・着手 |
| 5月1日 | 第三者割当による行使価額修正条項付第13回新株予約権の月間行使状況 |
| 5月8日 | 平成30年9月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕 |
| 5月14日 | 2018年9月期 第2四半期報告 |
| 5月23日 | 2018年9月期 第2四半期決算説明会 |
| 6月1日 | 第三者割当による行使価額修正条項付第13回新株予約権の月間行使状況 |
| 6月20日 | 希望退職募集の実施結果ならびに特別損失の発生 |

2018年（2018年9月期第4四半期）

| | |
|-------|---|
| 8月7日 | 平成30年9月期 第3四半期決算短信〔日本基準〕 |
| 8月7日 | 営業外費用及び特別損失の計上 |
| 8月7日 | 2018年9月期第3四半期決算ハイライト |
| 8月7日 | 連結子会社の吸収合併（簡易合併・略式合併）及び債権放棄に伴う個別決算における特別損失計上 |
| 8月13日 | 2018年9月期 第3四半期報告 |
| 9月5日 | ヒストジェニックス社が自家細胞培養軟骨「NeoCart」第Ⅲ相臨床試験トップラインデータ発表 |
| 9月27日 | ヒストジェニックス社が自家細胞培養軟骨「NeoCart」に関するFDAとの協議実施を発表 |



2018年9月期
通期業績
2019年9月期
通期業績予想
経営管理部長 落合 雅三

| (単位：百万円) | 2017年9月期 連結会計年度 業績(A) | 2018年9月期 通期連結 業績予想 (B) | 2018年9月期 連結会計年度 業績 (C) | 対前期 | | 対業績予想 | |
|-------------------------|-----------------------------|------------------------------|------------------------------|----------------|--------|----------------|------|
| | | | | 増減額 (C)-(A) | 増減率% | 増減額 (C)-(B) | 増減率% |
| 売上高 | 1,704 | 960 | 998 | △ 705 | △ 41.4 | 38 | 4.0 |
| 営業損失 (△) | △ 1,801 | △ 3,071 | △ 2,701 | △ 899 | - | 370 | - |
| 経常損失 (△) | △ 1,745 | △ 3,108 | △ 2,711 | △ 965 | - | 396 | - |
| 親会社株主に帰属する 当期純損失 (△) | △ 2,603 | △ 3,404 | △ 3,048 | △ 444 | - | 356 | - |
| 設備投資 | 40 | - | 234 | 194 | - | - | - |
| 減価償却費 | 320 | - | 193 | △ 126 | - | - | - |

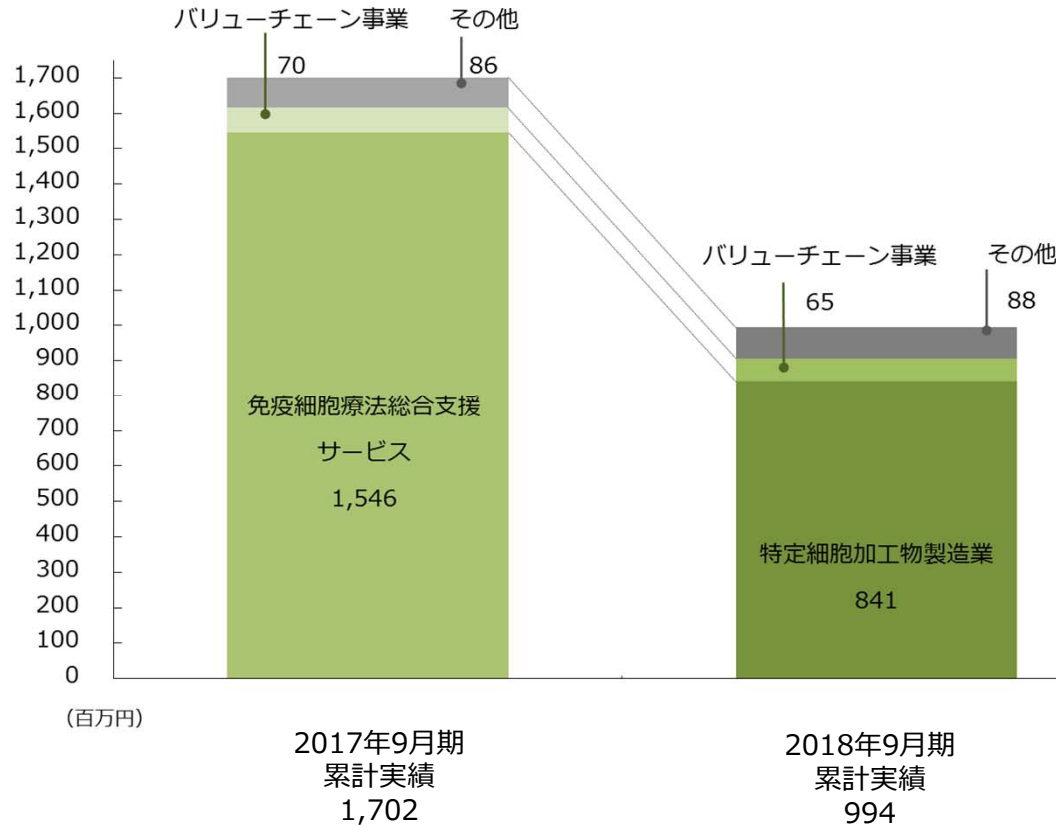
- 売上高は、特定細胞加工物製造委受託契約を締結している契約医療機関において、がん免疫治療分野での市場環境の変化等により患者数の減少が継続したことで、998百万円（前期比705百万円減、41.4%減）となりました。
- 営業損失は、ヒストジェニックス社との間で締結したライセンス導入契約に基づく契約一時金1,130百万円等により、販売費及び一般管理費は3,031百万円（前期比460百万円増）となった結果、2,701百万円（前期は営業損失1,801百万円）となりました。
- 当期純損失は、Maxcyte社の株式売却益378百万円を計上した一方で、構造改革改善費用96百万円、Argos社に対する貸倒引当金551百万円、TC BioPharm社の投資有価証券評価損63百万円を計上したこと等により、3,048百万円（前期は当期純損失2,603百万円）となりました。

売上総利益、販売費及び一般管理費の内訳

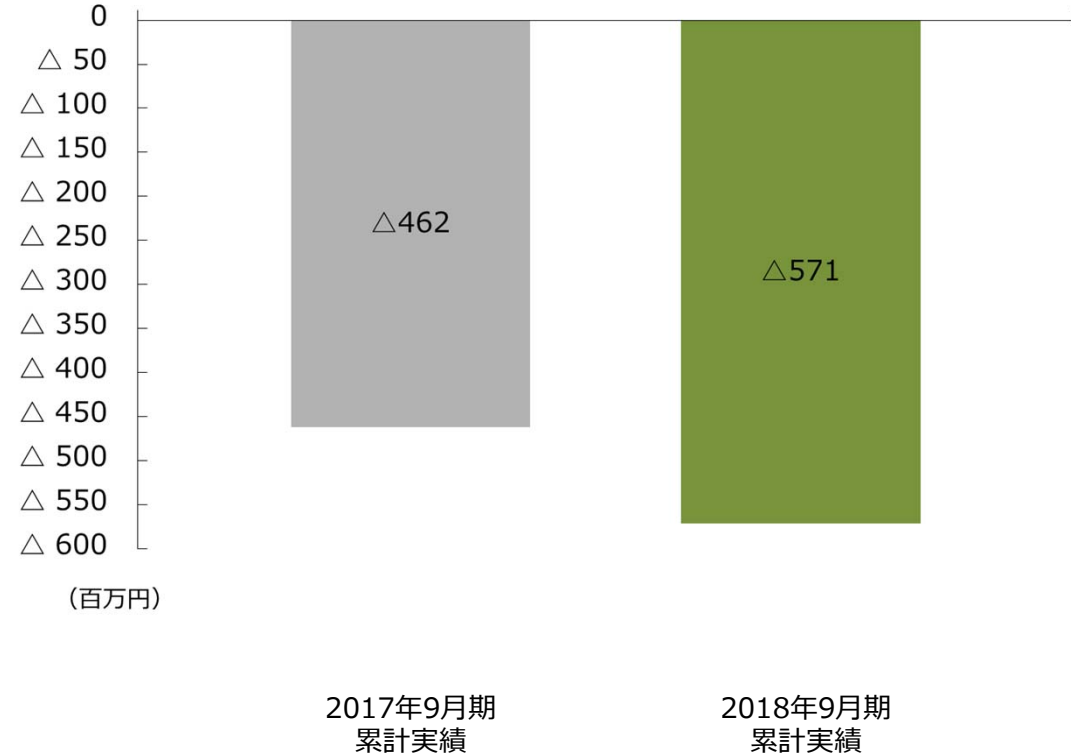
| (単位：百万円) | 2017年9月期 | 2018年9月期 | 対前期 | |
|------------|------------|--------------|-------------|--------|
| | 連結累計期間 (A) | 連結累計期間 (B) | 増減額 (B)-(A) | 増減率% |
| 売上高 | 1,704 | 998 | △ 705 | △ 41.4 |
| 売上総利益 | 769 | 330 | △ 439 | △ 57.1 |
| 売上総利益率% | 45.1 | 33.1 | - | - |
| 販売費及び一般管理費 | 2,570 | 3,031 | 460 | 17.9 |
| 研究開発費 | 612 | 1,502 | 890 | 145.4 |
| 内、人件費 | 177 | 195 | 18 | 10.1 |
| 販売費 | 508 | 294 | △ 214 | △ 42.2 |
| 内、人件費 | 191 | 133 | △ 58 | △ 30.3 |
| 一般管理費 | 1,449 | 1,234 | △ 215 | △ 14.9 |
| 内、人件費 | 425 | 369 | △ 56 | △ 13.1 |

細胞加工業の売上高・利益

売上高



セグメント損失 (△) ※営業損失

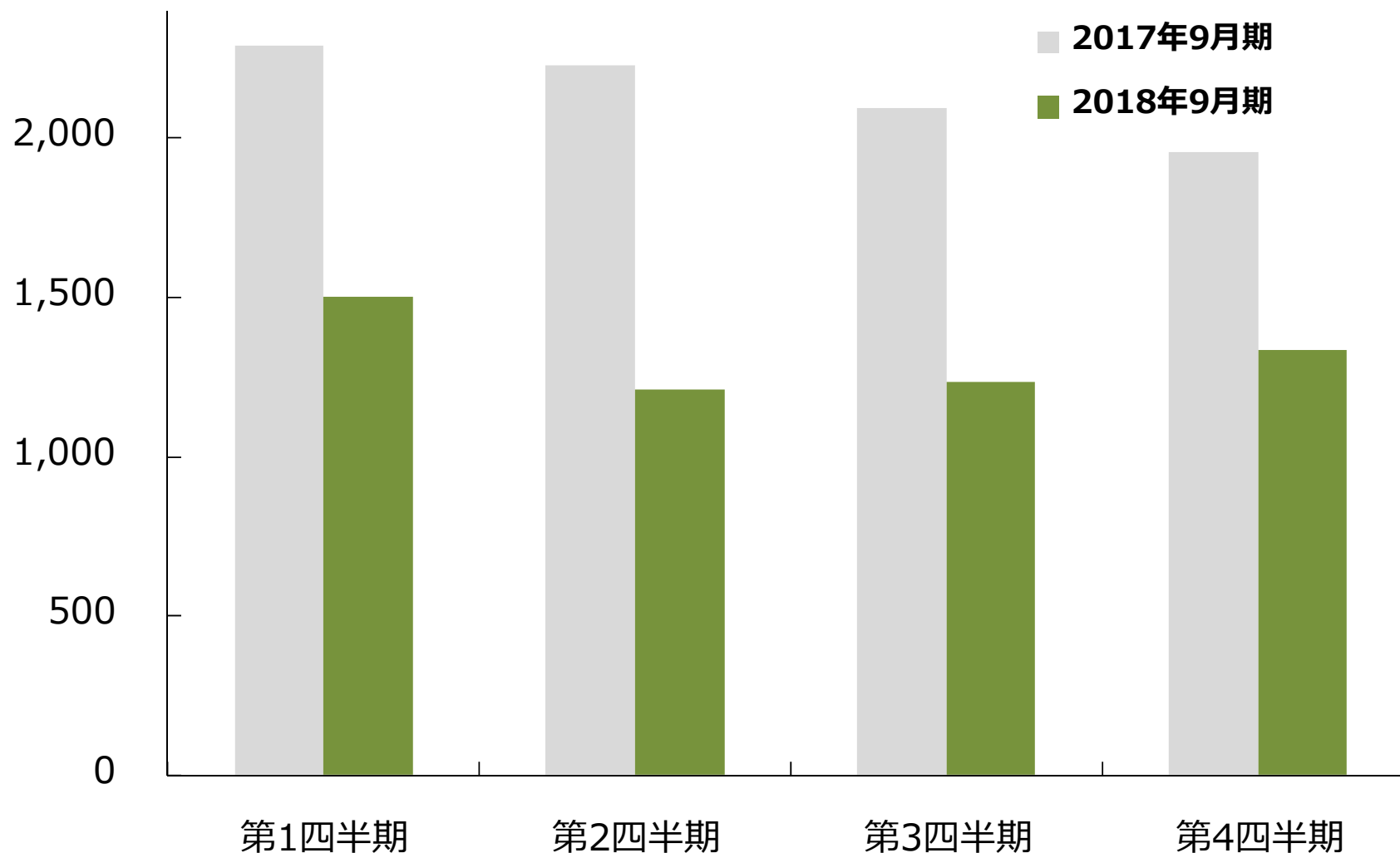


■ 契約医療機関における患者数減少の影響等による特定細胞加工物の製造売上の減少等により、売上高は994百万円（前期比707百万円減、41.6%減）、セグメント損失は571百万円（前期はセグメント損失462百万円）となりました。

2018年9月期 通期業績

細胞加工件数実績

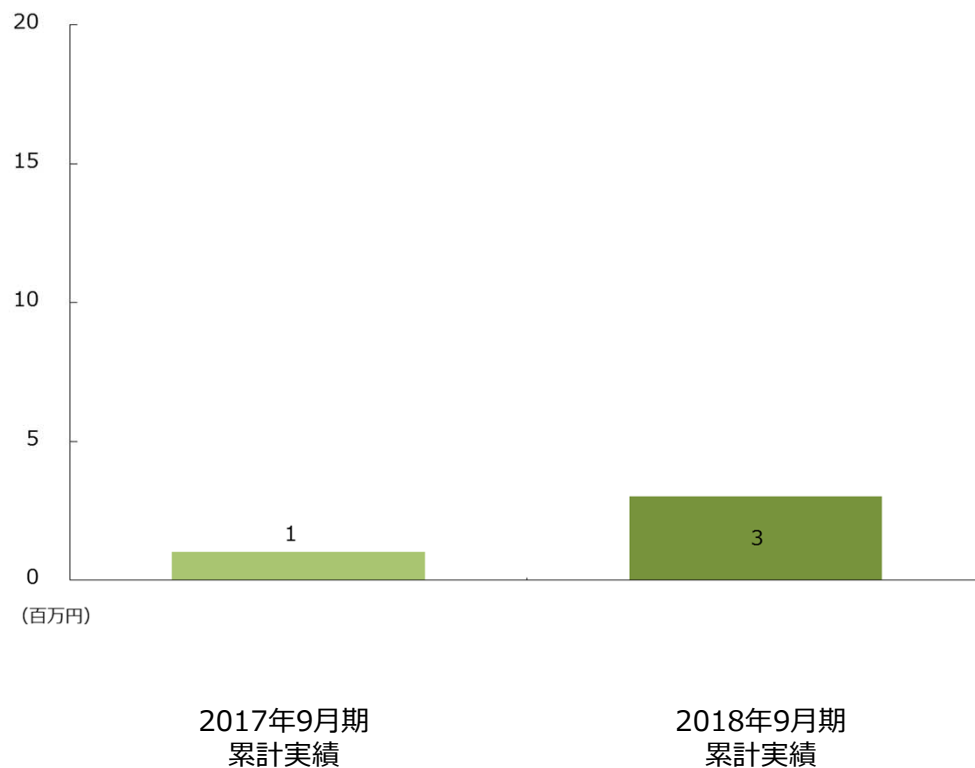
累計 約17.9万件
(2018年9月30日現在)



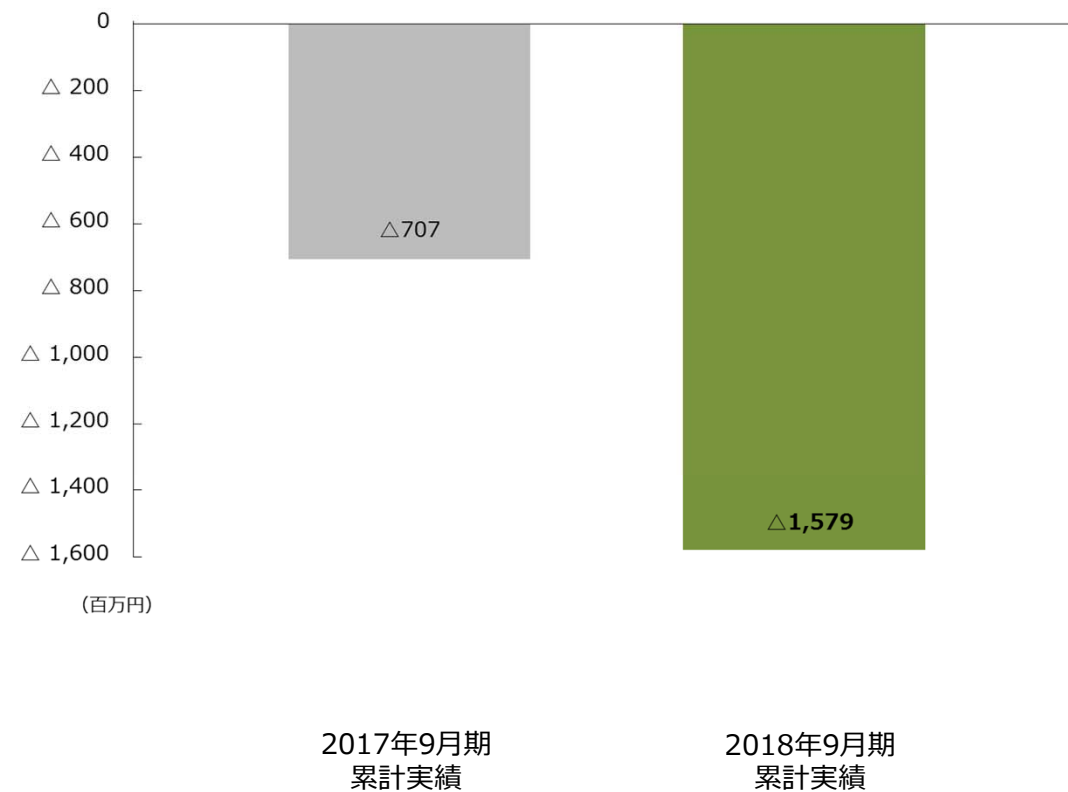
2018年9月期 通期業績

再生医療等製品事業の売上高・利益

売上高



セグメント損失 (△) ※営業損失



■ ヒストジェニックス社との間で締結したライセンス導入契約に基づく契約一時金1,130百万円等により、研究開発費が1,502百万円（前期比890百万円増）増加したこと等から、セグメント損失は1,579百万円となりました。

貸借対照表の概要

| (単位：百万円) | 2017年9月期 連結会計期間 (2017年9月30日) | 2018年9月期 連結会計期間 (2018年9月30日) | 増減額 |
|----------------|------------------------------------|------------------------------------|----------------|
| 資産合計 | 6,265 | 3,937 | △ 2,328 |
| 流動資産 | 4,052 | 2,707 | △ 1,345 |
| 現金及び預金 | 2,536 | 2,201 | △ 334 |
| 有価証券 | 900 | - | △ 900 |
| 固定資産 | 2,212 | 1,229 | △ 983 |
| 有形固定資産 | 800 | 871 | 70 |
| 無形固定資産 | 97 | 79 | △ 18 |
| 投資その他の資産 | 1,314 | 279 | △ 1,034 |
| 負債合計 | 785 | 624 | △ 161 |
| 流動負債 | 387 | 446 | 59 |
| 固定負債 | 398 | 177 | △ 220 |
| 純資産合計 | 5,480 | 3,313 | △ 2,166 |
| 資本金 | 6,786 | 7,362 | 576 |
| 資本剰余金 | 970 | 1,547 | 576 |
| 利益剰余金 | △ 2,603 | △ 5,652 | △ 3,048 |
| その他の包括利益累計額 | 292 | 1 | △ 291 |
| 負債純資産合計 | 6,265 | 3,937 | △ 2,328 |

【資産】は2,328百万円減少

主な減少

- ・流動資産：現金及び預金334百万円
有価証券900百万円
- ・固定資産：投資有価証券494百万円（Maxcyte社401百万円、TC BioPharm社63百万円等）
貸倒引当金551百万円（Argos社）等

【負債】は161百万円減少

主な増加

- ・流動負債：資産除去債務90百万円

主な減少

- ・固定負債：資産除去債務62百万円、
繰延税金負債110百万円 等

【純資産】は2,166百万円減少

主な増加

- ・資本金・資本剰余金：
新株予約権付社債の転換等1,153百万円

主な減少

- ・利益剰余金：
親会社株主に帰属する当期純損失3,048百万円
- ・その他の包括利益累計額：
その他有価証券評価差額金 △291百万円

自己資本比率 86.9% ⇒ 82.8%

資金調達の目的

ヒストジェニックス社と締結した
自家細胞培養軟骨 MDNT01の開発・販売
を目的としたライセンス契約に基づき

- ① ヒストジェニックス社に支払う契約一時金
- ② 臨床試験の進捗に応じて段階的に同社に支払うマイルストーン一時金
- ③ 開発及び再生医療等製品の製造販売業に必要な体制整備を含む
事業化に係る費用

転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債

| | |
|-----------|------------------|
| 割当先 | マッコーリー・バンク・リミテッド |
| 当該発行潜在株式数 | ※1 5,487,800株 |
| 資金調達額 | 900,000,000円 |

行使価額修正条項付第13回新株予約権

| | |
|-----------|-------------------|
| 割当先 | マッコーリー・バンク・リミテッド |
| 当該発行潜在株式数 | 17,400,000株 |
| 資金調達額 | ※2 2,884,398,000円 |
| 新株予約権発行分 | 30,798,000円 |
| 新株予約権行使分 | ※3 2,853,600,000円 |

■ 第4回転換社債

※2月14日～4月11日転換完了 (7,597,100株)

■ 第13回新株予約権発行分

※2018年2月13日割当先から払込完了

9億3,079万8,000円

■ 第13回新株予約権による調達額 (行使額)

※2018年4月12日～9月30日時点 (1,665,000株)

1億7,438万5,500円

※1上限転換価額はありませぬ。 ※2上限行使価額はありませぬ。

※3全ての新株予約権が当初の行使価額で行使されたと仮定して算出された金額です。行使価額及び行使価額の修正条件により、行使価額が修正された場合には、新株予約権の発行価額の総額に新株予約権の行使に際して払い込むべき金額の合計額を合算した金額は増加又は減少する可能性があります。また、新株予約権の権利行使期間内に行使が行われない場合及び当社が取得し新株予約権を消却した場合には、新株予約権の発行価額の総額に新株予約権の行使に際して払い込むべき金額の合計額を合算した金額は減少する可能性があります。

転換価額修正条項付第4回無担保転換社債型新株予約権付社債

| 調達する資金の具体的使途 | 金額 (百万円) | 支出時期 |
|--------------|----------|---------|
| 短期借入金返済資金 | 900 | 2018年2月 |

2018年1月9日付、ヒストジェニックス社へ支払う契約一時金の支払いの為に、新たに借入れた短期借入金1,100百万円の内、900百万円の返済資金に充当しました。

行使価額修正条項付第13回新株予約権

| 調達する資金の具体的使途 | 金額 (百万円) | 支出時期・支出予定時期 |
|----------------------------|----------|-----------------|
| ①短期借入金返済資金 | 200 | 2018年3月 |
| ②マイルストーン一時金 | 610 | 2018年9月～2020年2月 |
| ③自家細胞培養軟骨 MDNT01の事業化にかかる費用 | 2,049 | 2018年9月～2020年2月 |

① 短期借入金返済資金

2018年1月9日付、ヒストジェニックス社へ支払う契約一時金の支払いの為に、新たに借入れた短期借入金1,100百万円の内、200百万円の返済資金に充当しました。

② マイルストーン一時金

当社とヒストジェニックス社の間で締結した自家細胞培養軟骨MDNT01の開発・販売を目的としたライセンス契約において、契約一時金約1,130百万円に加え、開発・適応拡大の各段階に応じた一時金（総額約1,160百万円）を同社に支払うことになっております。そのうち、日本の規制当局から製造販売承認を取得するまでに支払が必要となるマイルストーン一時金として610百万円を充当する予定です。

③ 自家細胞培養軟骨MDNT01の事業化にかかる費用

自家細胞培養軟骨MDNT01を再生医療等製品として製造販売承認の段階までにつなげるための臨床試験の推進に係る費用として900百万円、日本において規制当局から製造販売承認を得るための製造販売承認取得に係る費用として100百万円、並びに、再生医療等製品の製造販売業に必要な体制の確立に係る費用として1,049百万円が必要となる予定ですので、これらの合計2,049百万円を今回調達する資金で充当する予定です。

希望退職募集の実施

2018年5月22日～2018年6月15日に希望退職の募集
(募集人員80名程度)

希望者数66名

希望退職募集の実施に伴う費用 (2018年9月期において)

- ✓希望退職募集等における特別加算金
- ✓再就職支援に係る費用

特別加算金等事業構造改善費用
96百万円を特別損失計上

拠点の統廃合

2019年3月に細胞培養加工施設を品川細胞培養加工施設(品川CPF)
に集約

連結子会社の吸収合併

運営管理業務の合理化を目的として

- ・株式会社医業経営研究所
- ・株式会社メドセル

2018年8月7日合併契約締結、10月1日合併効力発生



**細胞加工業における製造体制の効率化
2019年9月期の収支均衡を目指す**

**再生医療等製品の
パイプライン拡充と早期収益化**

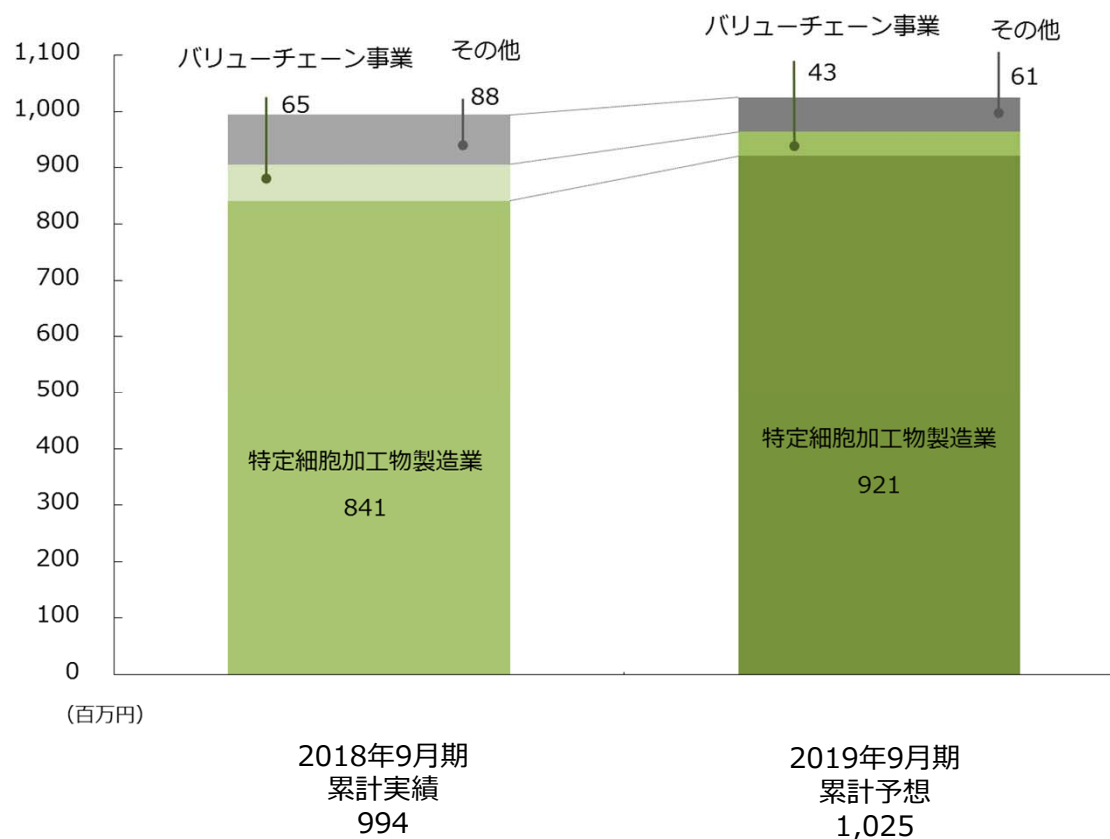


| (単位：百万円) | 2018年9月期 通期業績 ※連結 | 2019年9月期 通期業績 ※単体 | 対前期 | |
|------------|----------------------|----------------------|-------------|--------|
| | 実績(A) | 予想 (B) | 増減額 (B)-(A) | 増減率% |
| 売上高 | 998 | 1,026 | 28 | 2.8 |
| 売上総利益 | 330 | 469 | 139 | 42.1 |
| 販売費及び一般管理費 | 3,031 | 2,104 | △ 927 | △ 30.6 |
| 営業損失 (△) | △ 2,701 | △ 1,635 | 1,066 | - |
| 経常損失 (△) | △ 2,711 | △ 1,631 | 1,080 | - |
| 当期純損失 (△) | △ 3,048 | △ 1,641 | 1,407 | - |

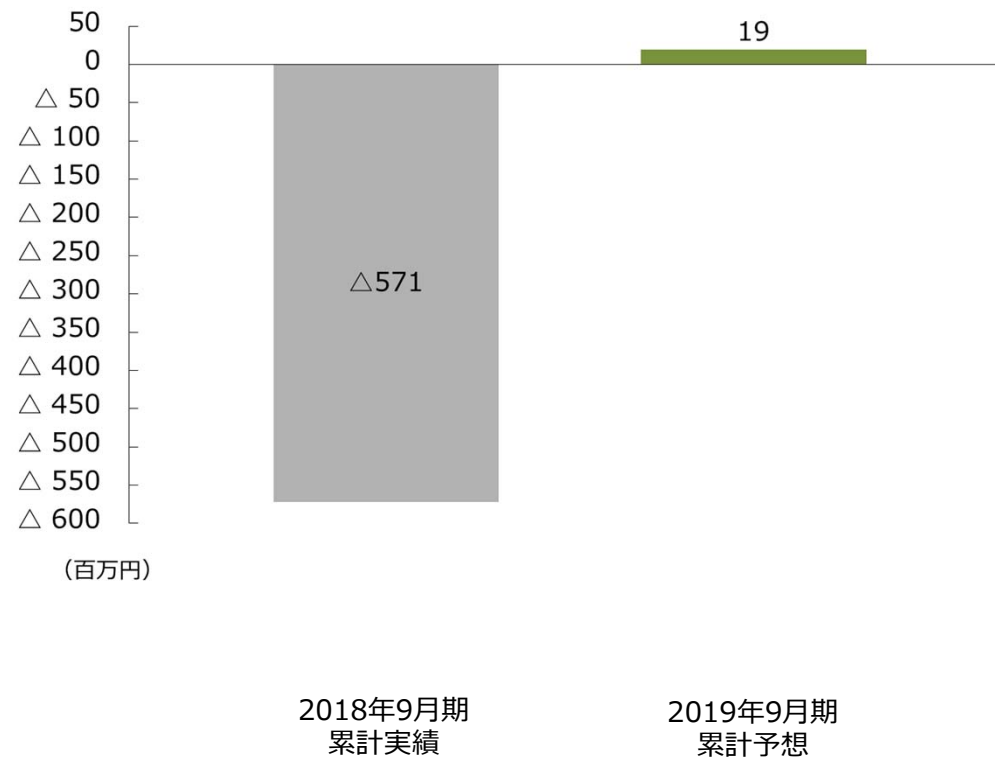
売上総利益、販売費及び一般管理費の内訳

| (単位：百万円) | 2018年9月期 | 2019年9月期 | 対前期 | |
|------------|------------|--------------|-------------|--------|
| | 連結累計期間 (A) | 連結累計期間 (B) | 増減額 (B)-(A) | 増減率% |
| 売上高 | 998 | 1,026 | 28 | 2.8 |
| 売上総利益 | 330 | 469 | 139 | 42.1 |
| 売上総利益率% | 33.1 | 45.7 | - | - |
| 販売費及び一般管理費 | 3,031 | 2,104 | △ 927 | △ 30.6 |
| 研究開発費 | 1,502 | 935 | △ 567 | △ 37.7 |
| 内、人件費 | 195 | 233 | 38 | 19.4 |
| 販売費 | 294 | 162 | △ 132 | △ 44.8 |
| 内、人件費 | 133 | 54 | △ 79 | △ 59.3 |
| 一般管理費 | 1,234 | 1,007 | △ 227 | △ 18.3 |
| 内、人件費 | 369 | 346 | △ 23 | △ 6.2 |

売上高

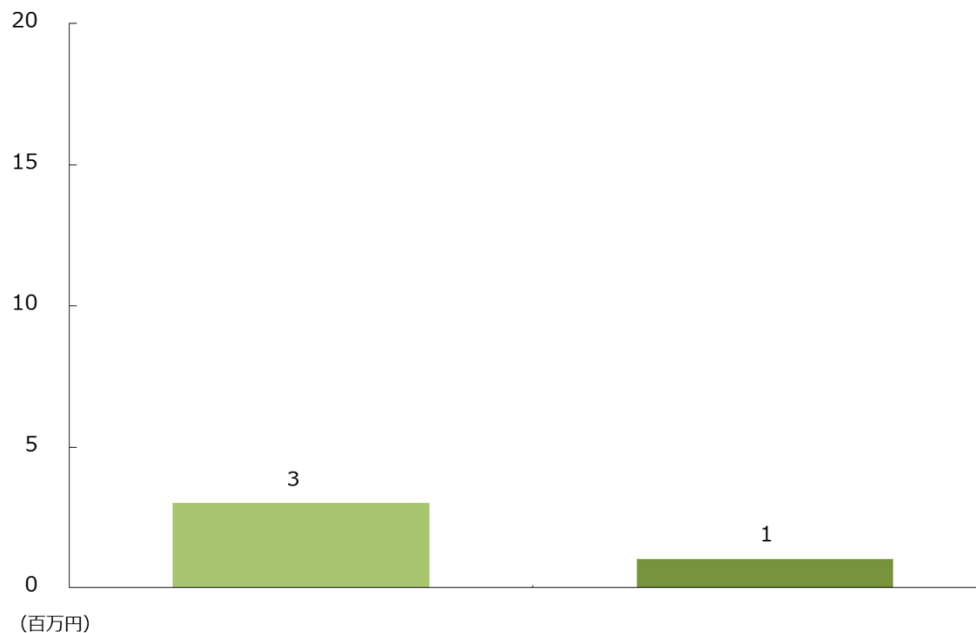


セグメント利益又は損失（△）※営業利益



■ 契約医療機関の増加等による特定細胞加工物の製造売上の増加等により、売上高は1,025百万円（前期比31百万円増、3.1%増）
構造改革の推進による売上総利益の増加、販売費の効率化等により、セグメント利益は19百万円（前期比590百万円増）

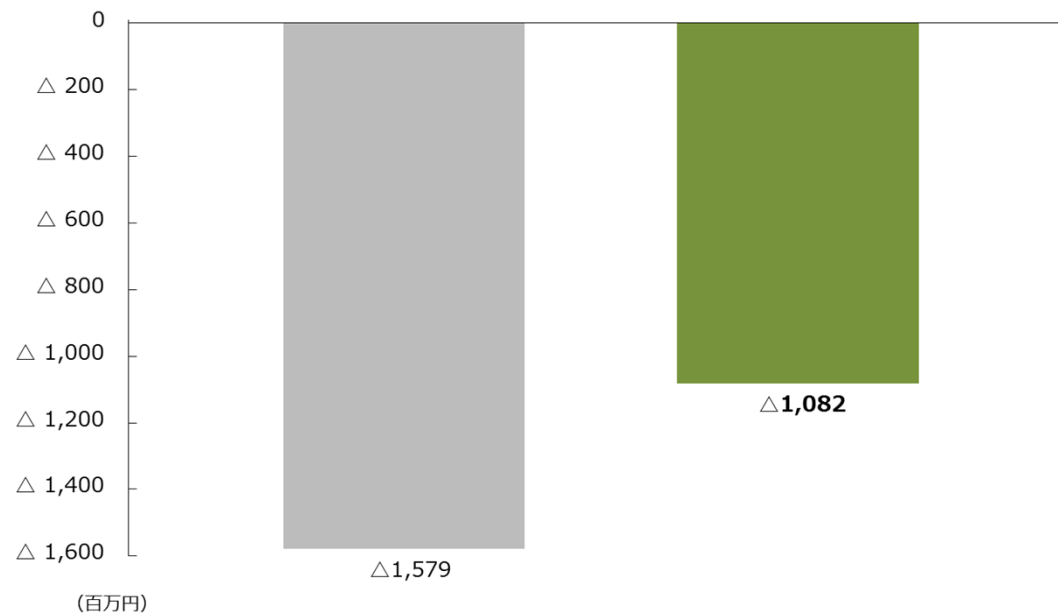
売上高



2018年9月期
累計実績

2019年9月期
累計予想

セグメント利益又は損失 (△) ※営業損失



2018年9月期
累計実績

2019年9月期
累計予想

■ MDNT01、ATL-DC-101の開発体制強化に伴う人件費の増加等的一方、前期発生したヒストジェニックス社へのライセンス導入契約に基づく契約一時金 (1,130百万円) 等の減少により、セグメント損失は1,082百万円 (前期比497百万円減)



2018年9月期 研究・開発

執行役員 再生医療等製品事業部長
池田 昇司

研究・開発等の状況

| 西暦 | | 2018年 | 2019年 | 2020年 | 2021年 | 2022年 | |
|----------------|----------|-------|---|----------|----------|----------|------|
| Financial Year | | 9月期 | 2019年9月期 | 2020年9月期 | 2021年9月期 | 2022年9月期 | |
| 共同開発 / 共同研究 | 対象疾患 | | | | | | |
| ヒストジェニクス | 膝軟骨欠損 | | 米国ヒストジェニクス社 第Ⅲ相臨床試験結果 BLAについてFDAと協議中 MDNT01 ・第Ⅲ相臨床試験準備 ・第Ⅲ相臨床試験実施計画届 ・第Ⅲ相臨床試験開始 | | 製造販売承認申請 | 製造販売承認 | 製造販売 |
| 国立病院機構 | 成人T細胞白血病 | | ATL-DC-101 第Ⅱ相医師主導治験 2018年10月PMDAと第Ⅱ相治験プロトコールについて合意 | | | | |

| | | | | | | | | | | | | | | | | | | |
|-------------|----------------------|--|-------------------------------|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|--|
| TC BioPharm | 悪性黒色腫/ 肺がん/腎臓がん | ImmuniCell® Stage II (Ph IIb) 第Ⅱ相臨床試験 | Stage III (Ph III) 第Ⅲ相臨床試験 | | | | | | | | | | | | | | | |
| 東京大学 | 腎細胞がん/ 肺がん 食道がん / | 臨床研究 / 先進医療 臨床研究 | | | | | | | | | | | | | | | | |

再生医療等製品事業の展開 自家細胞培養軟骨 MDNT01 開発方針

ヒストジェニックス社（米国）

※当初計画

米国第Ⅲ相臨床試験
患者登録（249症例）完了
2018年Q2（4月－6月）

2018年Q3（7月-9月）
米国第Ⅲ相臨床試験結果判明

2018年Q4（10月-12月）
生物学的製剤承認申請
（BLA）

2017年5月 医薬品医療機器機構
（PMDA）と対面助言を実施日本での
開発方針についてPMDAと合意済

日本における製造販売承認申請にデータ活用
-品質・前臨床・臨床試験データ
-生物学的製剤承認申請資料

MDNT01

第Ⅲ相臨床試験
治験計画書提出
第Ⅲ相臨床試験準備

第Ⅲ相臨床試験開始(30症例)
※マイクロフラクチャー対照
※ヒストジェニックス社から治験製品提供予定

第Ⅲ相試験データ取得
製造販売承認申請

2021年に製造販売承認の取得を目指す

2018年9月5日 米国第Ⅲ相試験トップラインデータ公表：
主要評価項目達成できなかった → 日本における開発方針再検討

再生医療等製品事業の展開 自家細胞培養軟骨 MDNT01 開発



Press Release

Histogenics Announces Top-Line Results From Phase 3 Clinical Trial of NeoCart® in Osteoarthritis (OA) of the Knee

Damage

- Phase 3 Clinical Trial of NeoCart Did Not Meet Primary Endpoint of a Statistically Significant Improvement in Pain and Function at Six Months After Treatment and Analysis One Year After Treatment as Compared to Microfracture -
- NeoCart Demonstrated Statistically Significant and Clinically Meaningful Improvements on Dual Threshold Responder Analysis Six Months After Treatment and Analysis One Year After Treatment as Compared to Microfracture One and Two Years After Treatment -
- Nearly All Pain and Function Measures Compared to Microfracture from the U. S. Food and Drug Administration -
- Data Compared Favorably to Other Products on the Market or in Development -
- Company to Discuss Plans for Submission of Biologics License Application (BLA) to FDA -
- Company to Host Conference Call

WALTHAM, Mass., Sept. 05, 2018 (GLOBE NEWSWIRE) -- Histogenics Corporation (Histogenics) today announced that its Phase 3 clinical trial of NeoCart® in osteoarthritis (OA) of the knee did not meet its primary endpoint of a statistically significant improvement in pain and function at six months after treatment and analysis one year after treatment as compared to microfracture. However, in this MITT population, 74.2% of the NeoCart population, patients achieved a statistically significant improvement in pain and function compared to patients treated with microfracture at one year (p=0.071). However, in this MITT population, patients achieved a statistically significant improvement in pain and function compared to patients treated with microfracture at six months after treatment as compared to patients treated with microfracture (p=0.018).

“Based on the totality of the data generated in the Phase 3 clinical trial, we continue to believe that NeoCart is a better than expected, while the NeoCart response rate was better than expected, and provide physicians with a differentiated product that, if approved, can compete effectively and provide physicians with a beneficial treatment option that may grow the market.” said Adam Gridley, President and Chief Executive Officer of Histogenics. “We continue to analyze the data and are in the process of scheduling a meeting with the FDA to discuss the results and prepare for a potential submission of a biologics license application for NeoCart. We wish to acknowledge and thank the patients and investigators who participated in the trial.”

2018年9月5日米国ヒストジェニクス社が自家細胞培養軟骨「NeoCart®」
第Ⅲ相臨床試験トップラインデータ発表

エンドポイントの奏効率（二重閾値レスポンス解析）で統計的有意差を示せなかった
(p=0.0714)

痛み（KOOS）及び機能（IKDC）の改善については統計的有意差を示していること
からヒストジェニクス社はBLAの可能性についてFDAとの協議を実施

FDAとの協議中

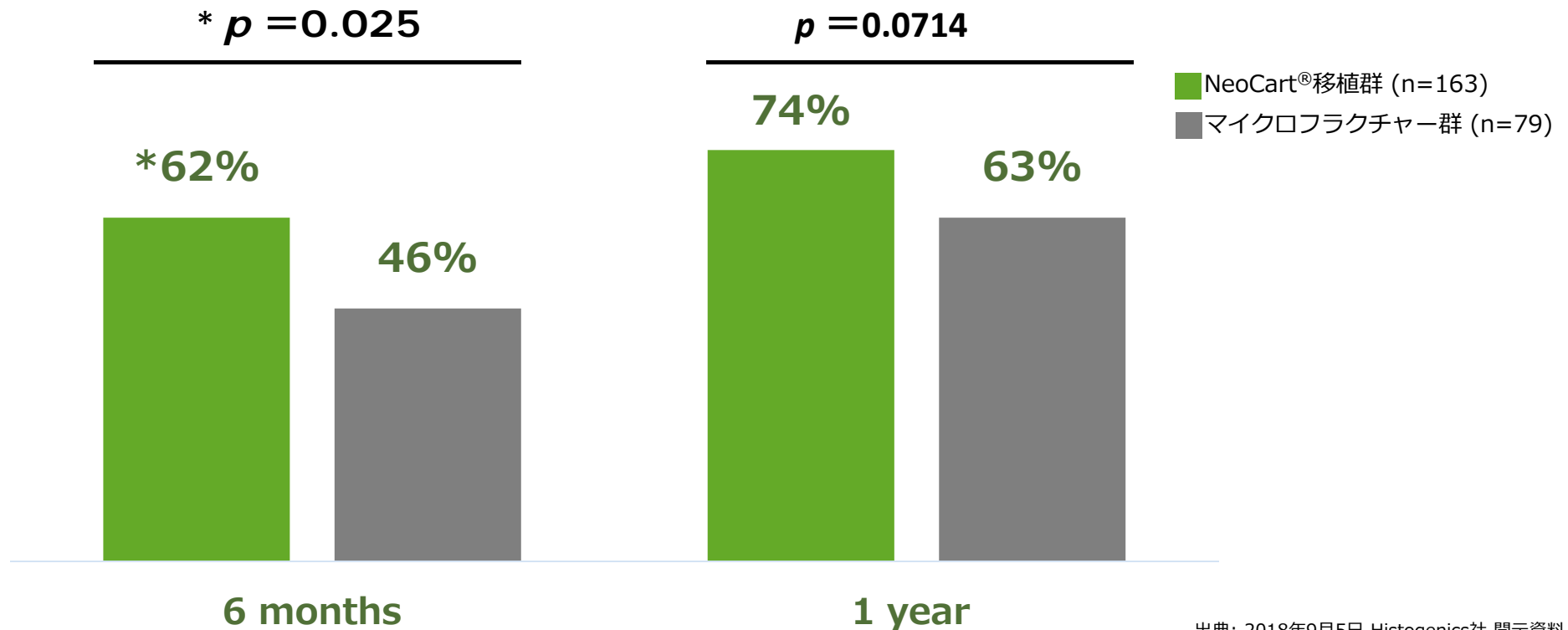
日本における製造販売承認申請に
米国第Ⅲ相臨床試験結果を使用

米国ヒストジェニクス社は
今後の対応を検討中

自家細胞培養軟骨MDNT01についての開発戦略 を早急に確定する

米国第Ⅲ相試験結果：主要評価項目「奏効率」の比較（MITT群）

- 主要評価項目（治療1年後の奏効率）
 - ・ 12ポイント以上のKOOS疼痛スコア改善
 - ・ 20ポイント以上のIKDCスコアの改善



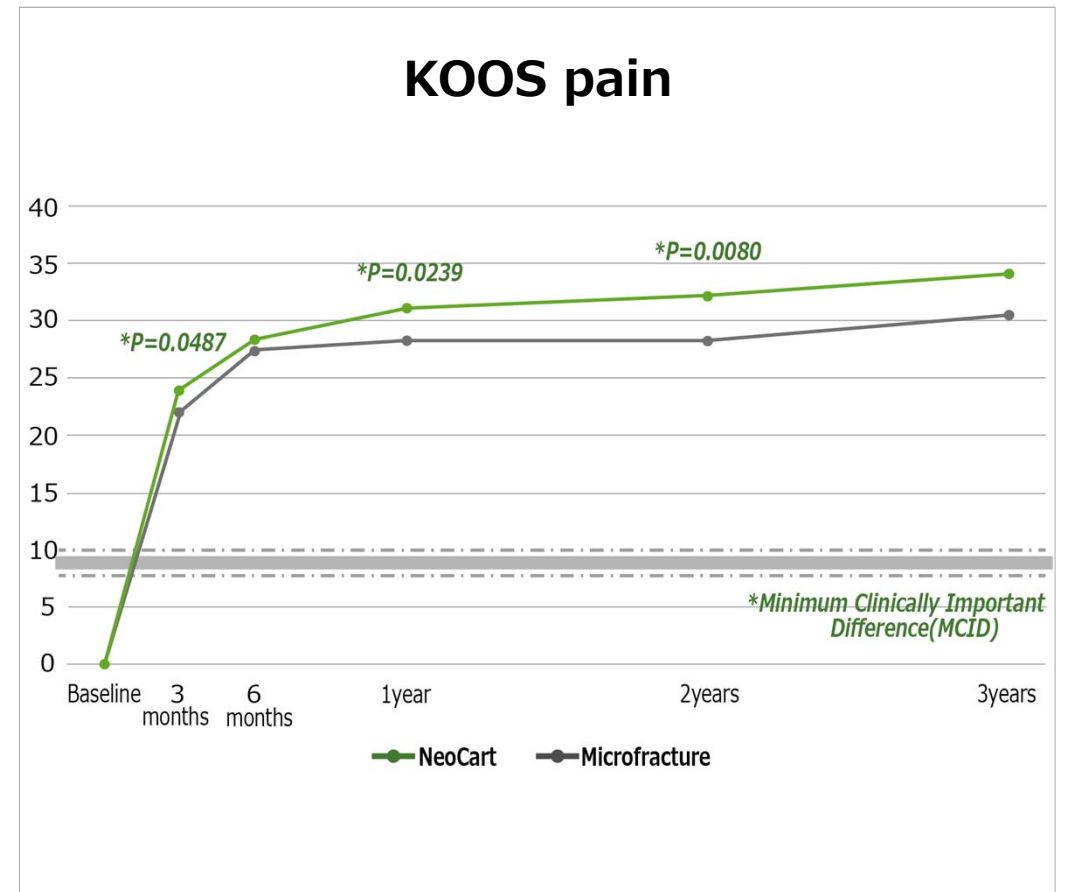
出典：2018年9月5日 Histogenics社 開示資料

米国第Ⅲ相試験結果：KOOS（痛み）個別評価 ※治療前後の改善スコアー平均値の比較

KOOS pain score (MITT Population)
Change from Baseline

(NeoCart Baseline=54.0, Microfracture Baseline=52.4)

| Visit | NeoCart | | Microfracture | | P-Value |
|----------|---------|------------------|---------------|------------------|---------|
| | N | Mean Improvement | N | Mean Improvement | |
| 3-months | 160 | 24.1 | 75 | 22.4 | 0.0480 |
| 6-months | 157 | 28.6 | 75 | 27.0 | 0.0819 |
| 1-year | 158 | 31.4 | 72 | 28.7 | 0.0239 |
| 2-year | 87 | 32.2 | 34 | 28.9 | 0.0080 |
| 3-year | 39 | 34.3 | 16 | 30.7 | 0.1071 |



KOOSの個別評価においては、治療1年および2年後で
統計的な有意差が認められる

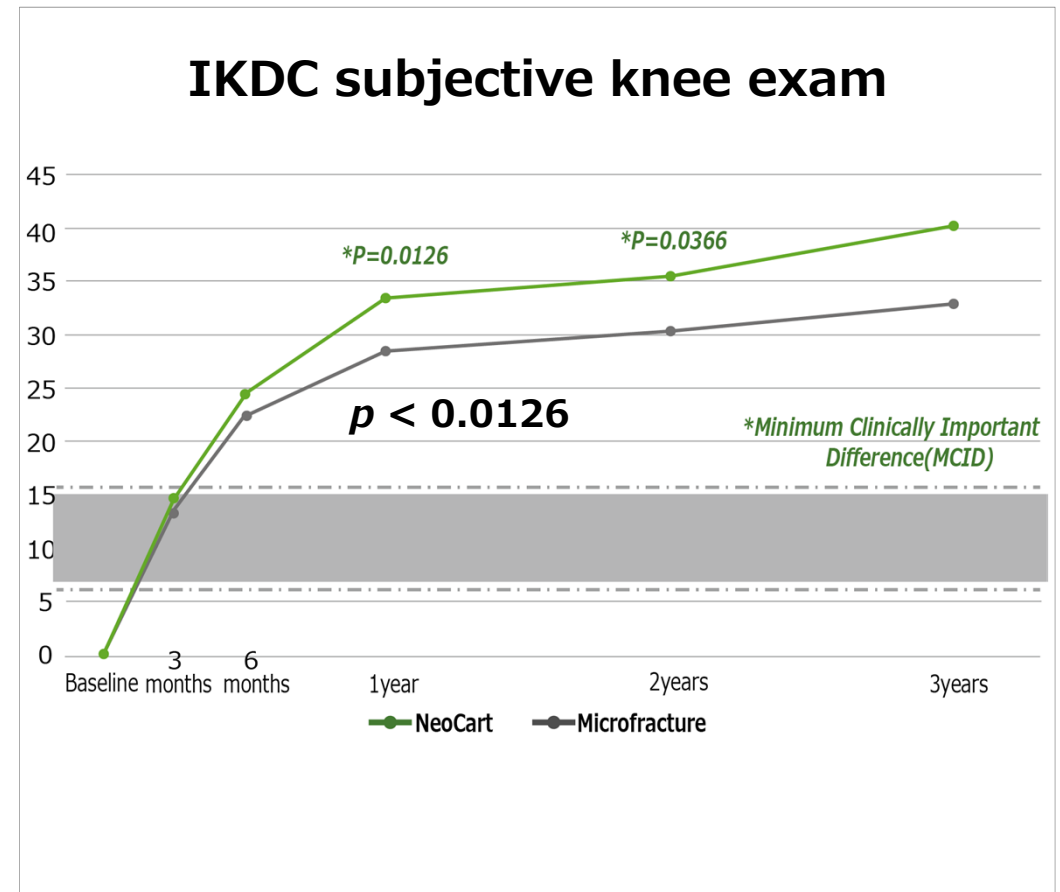
出典：2018年9月5日 Histogenics社 開示資料

米国第Ⅲ相試験結果：IKDC（機能） 個別評価 ※治療前後の改善スコアー平均値の比較

IKDC subjective knee exam score
(MITT Population)
Change from Baseline

(NeoCart Baseline=40.3, Microfracture Baseline=40.0)

| Visit | NeoCart | | Microfracture | | P-Value |
|----------|---------|------------------|---------------|------------------|---------|
| | N | Mean Improvement | N | Mean Improvement | |
| 3-months | 159 | 13.7 | 76 | 14.5 | 0.9686 |
| 6-months | 156 | 24.4 | 74 | 22.4 | 0.1572 |
| 1-year | 158 | 33.1 | 71 | 28.3 | 0.0126 |
| 2-year | 87 | 35.3 | 34 | 30.2 | 0.0366 |
| 3-year | 38 | 39.9 | 16 | 32.6 | 0.2691 |



IKDCの個別評価においては、治療1年および2年後で
統計的な有意差が認められる

出典：2018年9月5日 Histogenics社 開示資料

再生医療等製品事業の展開 成人T細胞白血病を対象 樹状細胞ワクチンの第Ⅱ相医師主導治験

独立行政法人国立病院機構 九州がんセンター共同研究グループ

(研究代表者：九州がんセンター血液内科・細胞治療科医長 末廣陽子)

- ・ ATL細胞 (HTLV-1に感染してがん化したリンパ球) の表面には正常なリンパ球にはない「Tax」というウイルスタンパク質が現れるという特徴を捉えた
- ・ 患者本人の血液から作製した自家樹状細胞にATLの原因ウイルスであるHTLV-1のTaxタンパク質由来ペプチドを添加、ATL-DC-101を作り、これを皮下投与することにより免疫細胞を誘導しATL細胞を攻撃する「ATL-DC-101」の開発に長年取り組まれている

ATL-DC-101

「日本医療研究開発機構 (革新的がん医療実用化研究事業)」の助成を得て開発

- ・ ATLに対して長期にわたる臨床効果が示唆
- ・ 医師主導治験 (第Ⅰa/Ⅰb相試験) 実施の結果、ATL-DC-101の安全性を確認。
製造販売承認申請に向け第Ⅱ相医師主導治験に進む
- ・ 第Ⅱ相医師主導治験に使用するATL-DC-101は、品川細胞培養加工施設 (品川CPF) で製造



ATL-DC-101

第Ⅱ相医師主導治験
準備

第Ⅱ相医師主導治験開始

製造販売承認申請

※2018年10月、PMDAと第Ⅱ相医師主導治験プロトコールについて合意
現在治験製品の製造を品川CPFに移管中

国立病院機構と共同でATL-DC-101の 早期の製造販売承認取得を目指す

2019年9月期 経営ビジョン

代表取締役 会長兼社長 木村 佳司

事業領域の拡大



再生医療等製品のパイプライン拡充と 早期収益化

次世代の医療を支える革新的な技術及び サービスを創造し、迅速かつ効率的に社会に提供し続ける

社会環境の変化 / 革新的技術の進展

健康長寿

超高齢化

少子高齢

免疫老化

未病対策

免疫チェックポイント
阻害剤

ゲノム医療

予防治療

継続的な再生医療等製品の提供

再生医療等製品の上市

細胞加工事業の拡大

製造体制の強化

ACCEPT2021戦略

社会環境やニーズをとらえた
事業領域拡大

医療・ヘルスケア分野での新規事業への進展

新規再生医療シーズ

再生医療グローバル展開

新しい免疫細胞治療への展開

再生医療のトータルソリューションプロバイダーへ

Think Global, Act Local



健康長寿社会におけるイノベーション・カンパニーへの変革

この資料は、投資者に対する情報提供を目的として将来の事業計画等を記載したものであって、投資勧誘を目的としたものではありません。

当社の事業計画に対する評価及び投資に関する決定は、投資者ご自身の判断において行われますようお願いいたします。

この資料に記載されている当社の現在の計画、見通し、戦略、確信等のうち歴史的事実でないものは、将来の事業に関する見通しであり、これらは、現在入手可能な情報から得られた当社の経営陣の現時点における判断に基づいており、顕在化・潜在的なリスクや不確実性が含まれております。従いまして、これらの見通しに全面的に依拠することは控えるようお願い致します。

細心の注意を払っておりますが、掲載された情報の誤りやデータのダウンロードなどによって生じた障害などに関し、事由の如何を問わず、一切責任を負うものではないことを予めご承知おき下さい。