

# 2019年7月期 決算説明会補足資料 (1/2)

## 株式会社 ステムリム



(東証マザーズ：4599)

代表取締役社長 岡島 正恒

2019年9月13日

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. 会社概要
2. 再生誘導医薬開発の経緯
3. 再生誘導医薬の優位性
4. 事業領域およびパイプラインの概要
5. 2019年7月期 事業活動の概況
6. 2019年7月期 決算報告と2020年7月期 業績予想
7. 新規株式上場による資金調達について
8. 今後の成長戦略

# 1 会社概要

---

## 再生誘導で難治性疾患を克服する



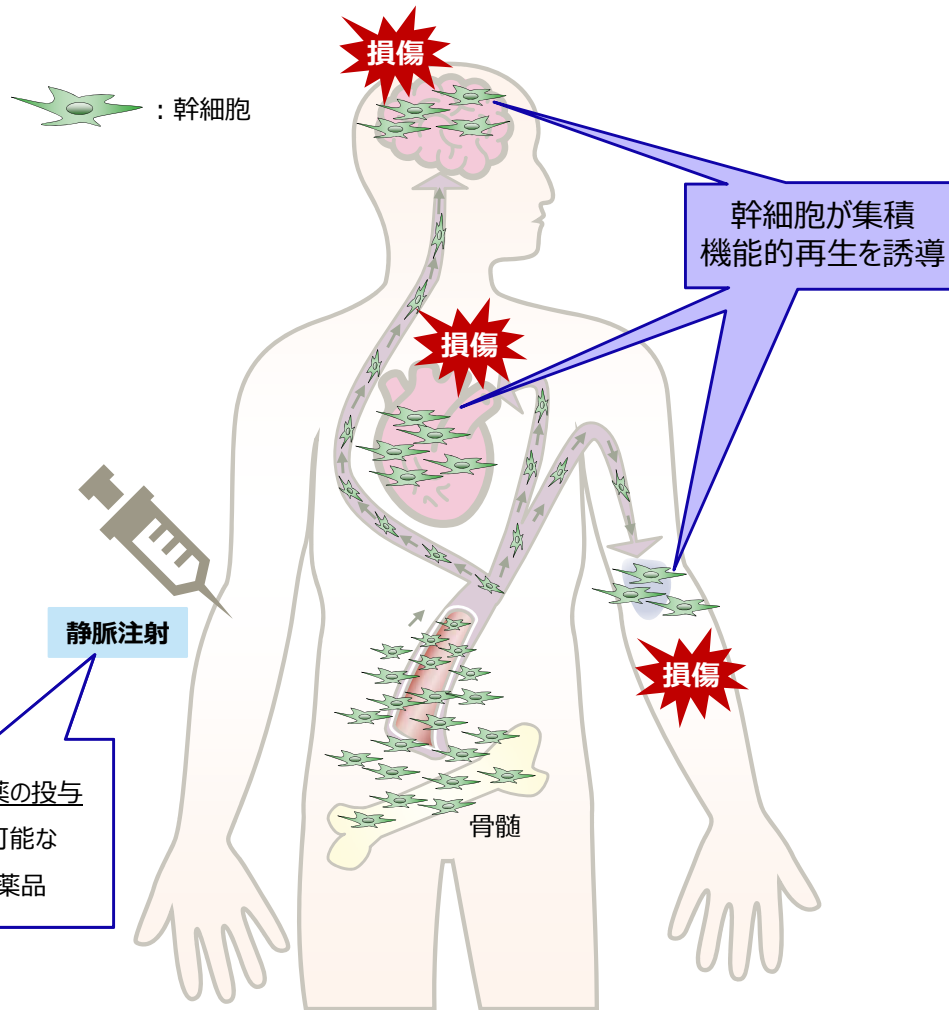
株式会社ステムリムは、「再生誘導医薬」の開発を目指すバイオ企業です。

「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。

当社は、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新しい作用機序に基づく医薬品の開発を進めています。

\* 社名の由来は **Stem** cell **R**egeneration-**I**nducing **M**edicine (=再生誘導医薬) より

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



再生誘導医薬の投与  
工業生産可能な  
化合物医薬品

静脈注射

損傷

損傷

損傷

骨髄

幹細胞が集積  
機能的再生を誘導

様々な臓器・組織の障害

再生誘導医薬の投与

骨髄から幹細胞を  
血中に動員

幹細胞が損傷組織に集積

機能的再生を誘導

社名	株式会社ステムリム (StemRIM)
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
従業員数	39名(2019年7月末時点)
研究開発人員	<p><b>研究職33名</b></p> <p>Ph.D 13名 その他 20名</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>*Ph.D13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>*2019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
2007年4月	大阪大学との共同研究を開始。以後、研究成果の知財化を進め、これまでに78件の特許を取得。 (そのほか43件の特許を出願中)
2008年10月	独立行政法人 科学技術振興機構(JST) 産学共同シーズインベーション化事業に採択
2009年12月	独立行政法人 科学技術振興機構(JST) A-STEP本格研究開発ハイリスク挑戦タイプに採択
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 <b>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</b>
2011年11月	独立行政法人 科学技術振興機構(JST) A-STEP本格研究開発シーズ育成タイプに採択
2012年6月	神戸ポートアイランド内に神戸ラボを開設 疾患モデル動物を用いた薬効試験の実施体制を強化
2013年7月	彩都バイオインキュベータ内のラボを増床、加えて自社の動物飼育/実験施設を開設し、神戸ラボの機能を吸収
2013年12月	独立行政法人 科学技術振興機構(JST) A-STEP本格研究開発シーズ育成タイプに採択。大阪大学の早期探索的臨床試験拠点整備事業と連携し、医師主導治験を支援。
2014年4月	大阪大学最先端医療イノベーションセンターの共同研究プロジェクトに採択(テーマは「体内再生誘導医薬開発のための非臨床試験及び新規候補物質の探索」) 阪大ラボ開設
2014年5月	独立行政法人 新エネルギー・産業技術総合開発機構(NEDO) 2013年度イノベーション実用化ベンチャー支援事業に採択
2014年11月	<b>塩野義製薬(株)とHMGB 1に関するライセンス契約締結</b>
2015年8月	国立大学法人大阪大学にてHMGB 1に関する医師主導治験開始
2017年3月	<b>HMGB 1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I)終了</b>
2017年8月	中小企業庁助成事業「戦略的基盤技術高度化支援事業」に採択
2018年1月	<b>HMGB 1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</b>
2018年7月	株式会社ステムリム (StemRIM) に社名変更
2019年4月	<b>HMGB 1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)</b>

## 大阪大学発「創薬研究開発型」バイオテック企業

医薬品の上市まで、一般に～10年程度の開発期間



### 当社の担当領域



共同研究  
共同出願

独占実施権



### 当社の役割

- 候補物質同定
- 作用メカニズム証明
- 製造法確立
- 動物モデルPOC確立
- 早期臨床POC確立

(共同研究契約) 開発・製造・  
(オプション契約) 販売権のライセンス

契約一時金

マイルストーン

ロイヤルティ

一時金  
マイルストーン  
ロイヤルティ

製薬企業



## 代表取締役 会長CEO 富田 憲介



1974年三共(現第一三共)入社。その後日本イーライ・リリー、ローヌ・プーランク・ローラー(現サノフィ)、サンド薬品(現ノバルティスファーマ)等にて新薬開発・経営企画責任者等を歴任。2000年6月アンジェス エムジー(現アンジェス)代表取締役社長、2003年4月 オンコセラピー・サイエンス代表取締役社長を歴任。  
2013年7月当社取締役に就任、2019年3月より代表取締役会長(現任)。東京大学薬学部卒

## 代表取締役 社長COO 岡島 正恒



1991年住友銀行(現三井住友銀行)入行。その後、住友キャピタル証券、大和証券エスピーキャピタル・マーケットを経て、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。2006年9月よりメディシナ東京事務所代表、副社長を歴任。2019年3月より当社代表取締役社長(現任)。  
東京理科大学理工学部経営工学科卒

## 取締役 副社長 探索研究部長 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。2007年4月当社取締役、2010年4月当社代表取締役社長、2018年4月より当社取締役(現任)

## 取締役 経営管理部長 金崎 努



2001年4月日本アジア投資入社、2006年10月JAIC Asia Holdings Pte. Ltd.ヴァイスプレジデント等を歴任。  
2010年5月当社入社、2013年7月当社取締役、2014年当社代表取締役社長、2018年4月より当社取締役(現任)

## 取締役 医薬研究部長 横田 耕一



1982年鐘紡入社、1999年日本オルガノン、2003年カルナバイオサイエンスにて薬理・標的分子に係る研究及びマネジメントに従事。2013年より当社医薬研究部長（現任）、2014年12月より当社取締役（現任）

## 社外取締役 梅田 和宏



2001年第一メディカル（現メディカルクオール）入社。2005年日本アジア投資、2008年JAIC America Inc.等を歴任。2016年よりエムスリーアイ 代表取締役社長（現任）、2017年12月より当社取締役（現任）

## 監査役 久渡 庸二

1975年米国ユニロイヤル入社。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 行正 秀文

1979年武田薬品工業入社、研究推進部部長等を経験。2007年立命館大学立命館グローバル・イノベーション研究機構特別招聘教授、2017年より研究顧問（現任）。2018年2月より当社監査役（現任）

## 監査役 津田 和義

1990年、太田昭和監査法人入社。稲田商会や監査法人トーマツを経て、2008年津田和義公認会計士・税理士事務所代表（現任）、2008年ブレイントラスト代表取締役（現任）。2018年6月より当社監査役（現任）

## 2 再生誘導医薬開発の経緯

---

## 再生誘導医薬の発明者 大阪大学医学系研究科 玉井克人教授との共同研究開発体制



当社サイエンティフィックファウンダー  
玉井 克人教授  
大阪大学大学院医学系研究科

### <所属学会>

日本皮膚科学会	日本炎症・再生医学会
日本研究皮膚科学会（理事；H30年3月退任）	日本臨床皮膚科学会
日本結合組織学会	皮膚かたち研究学会（監事）
日本癌学会	米国研究皮膚科学会
日本再生医療学会	米国遺伝子治療学会
日本遺伝子細胞治療学会（監事）	

### <主要論文実績一例>

#### **Stem Cells 26:223-234, 2008.**

Circulating bone marrow-derived osteoblast progenitor cells are recruited to the bone-forming site by the CXCR4/stromal cell-derived factor-1 pathway.  
骨再生に寄与している骨髄由来末梢循環間葉系細胞の詳細な性質と、骨再生部位への集積メカニズムを解明した論文

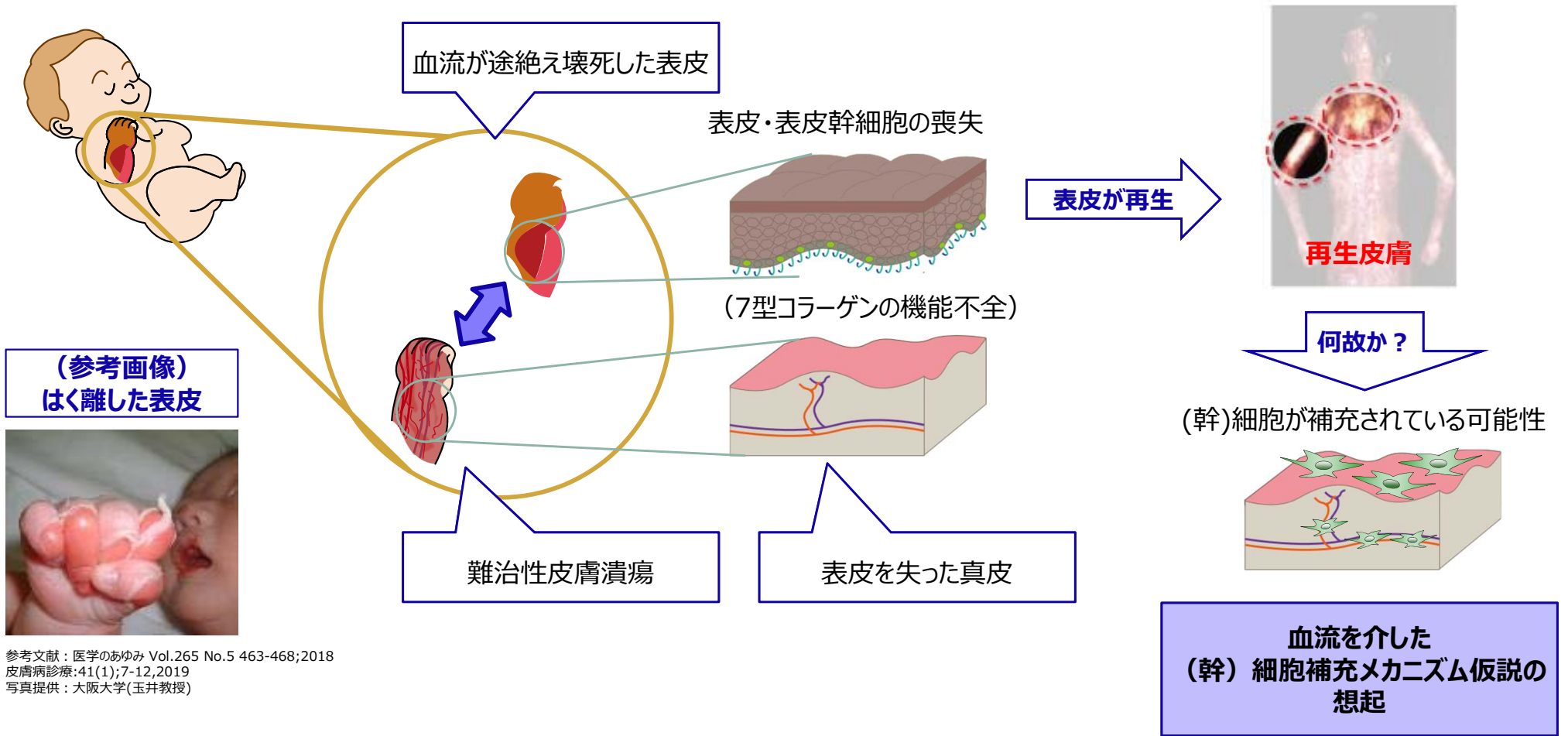
#### **Biochem Biophys Res Commun 354:453-458, 2007.**

Bone marrow-derived osteoblast progenitor cells in circulating blood contribute to ectopic bone formation in mice.  
骨髄由来間葉系細胞が末梢血を介して骨再生部位に集積し、骨組織再生に寄与していることを世界で初めて報告した論文

#### **Am J Pathol 173:803-814,2008. Epub 2008 Aug 7.**

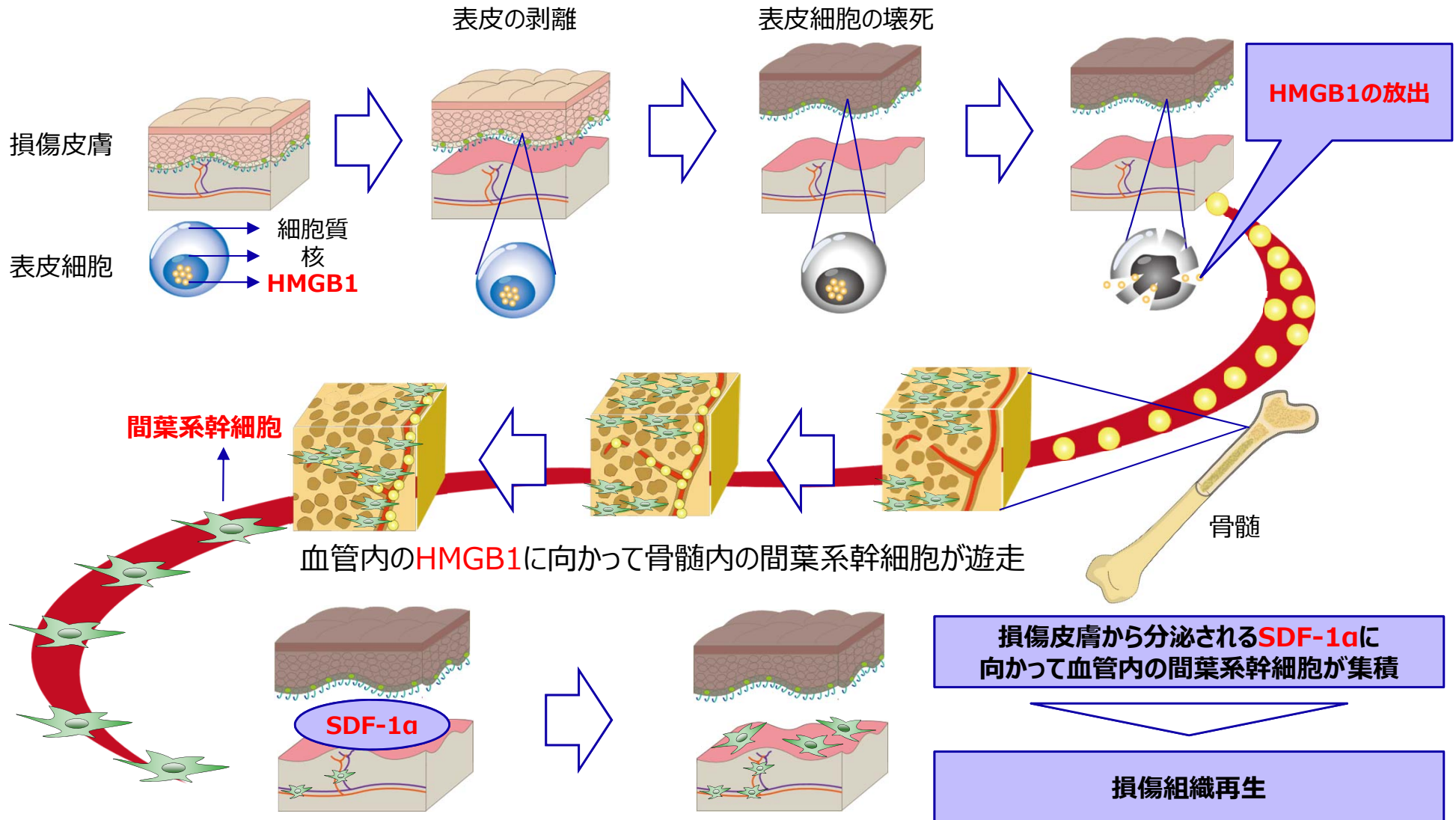
Bone marrow cell transfer into fetal circulation can ameliorate genetic skin diseases by providing fibroblasts to the skin and inducing immune tolerance.  
表皮水疱症マウスの胎仔循環血中に骨髄細胞を移植し、骨髄内の間葉系細胞が末梢血から皮膚に集積して表皮水疱症マウス皮膚の病態を改善することを世界で初めて報告した論文

## 再生誘導医薬開発の発端は、骨髄から血液を介した皮膚への幹細胞補充メカニズム仮説の想起



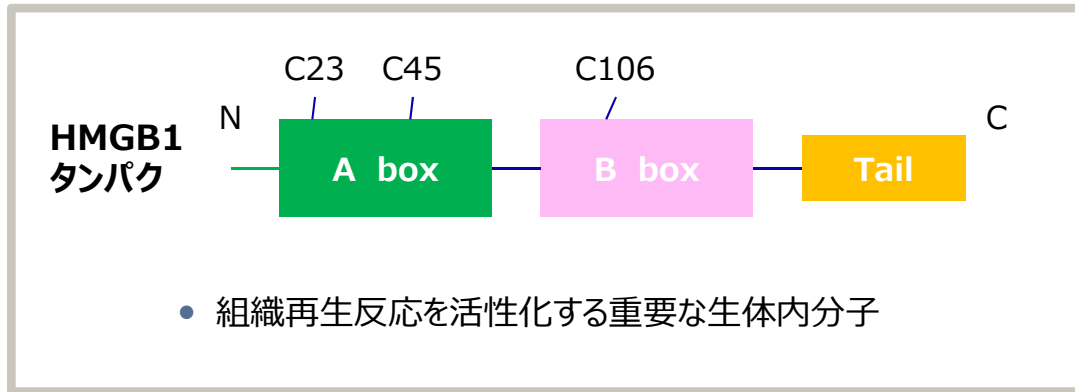
参考文献：医学のあゆみ Vol.265 No.5 463-468;2018  
皮膚病診療:41(1);7-12,2019  
写真提供：大阪大学(玉井教授)

## 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

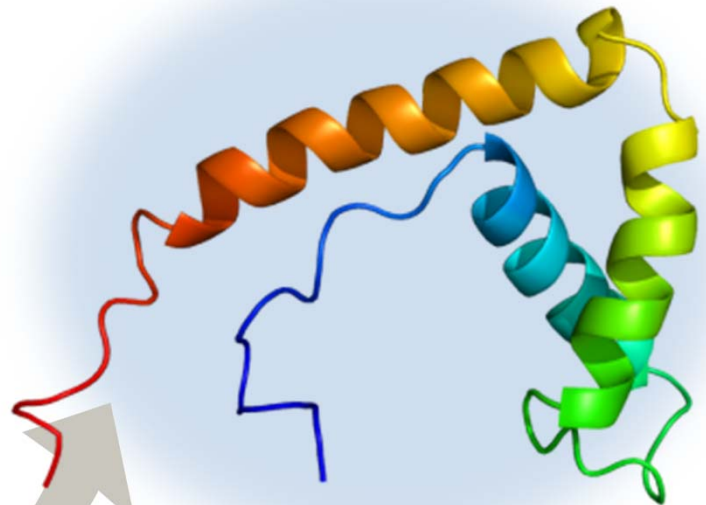


参考文献:  
 J Immunol. 2015 Feb 15;194(4):1996-2003  
 Proc Natl Acad Sci U S A. 2011 Apr 19;108(16):6609-14.

## 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



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

大阪大学 玉井克人教授



タンパク内ドメインの機能を特定

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

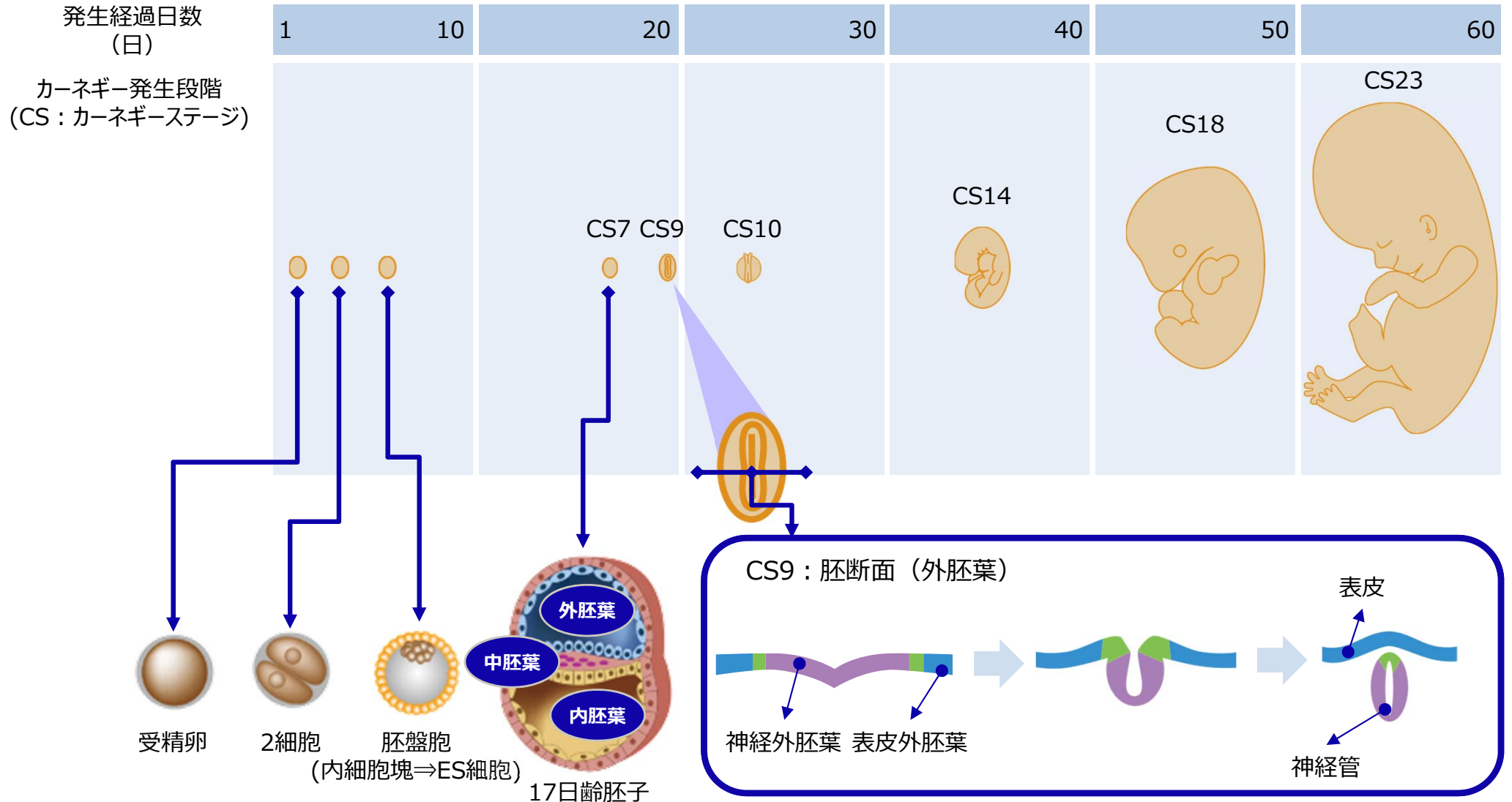
炎症反応を誘導する自然免疫活性化ドメイン

## 3 再生誘導医薬の優位性

---

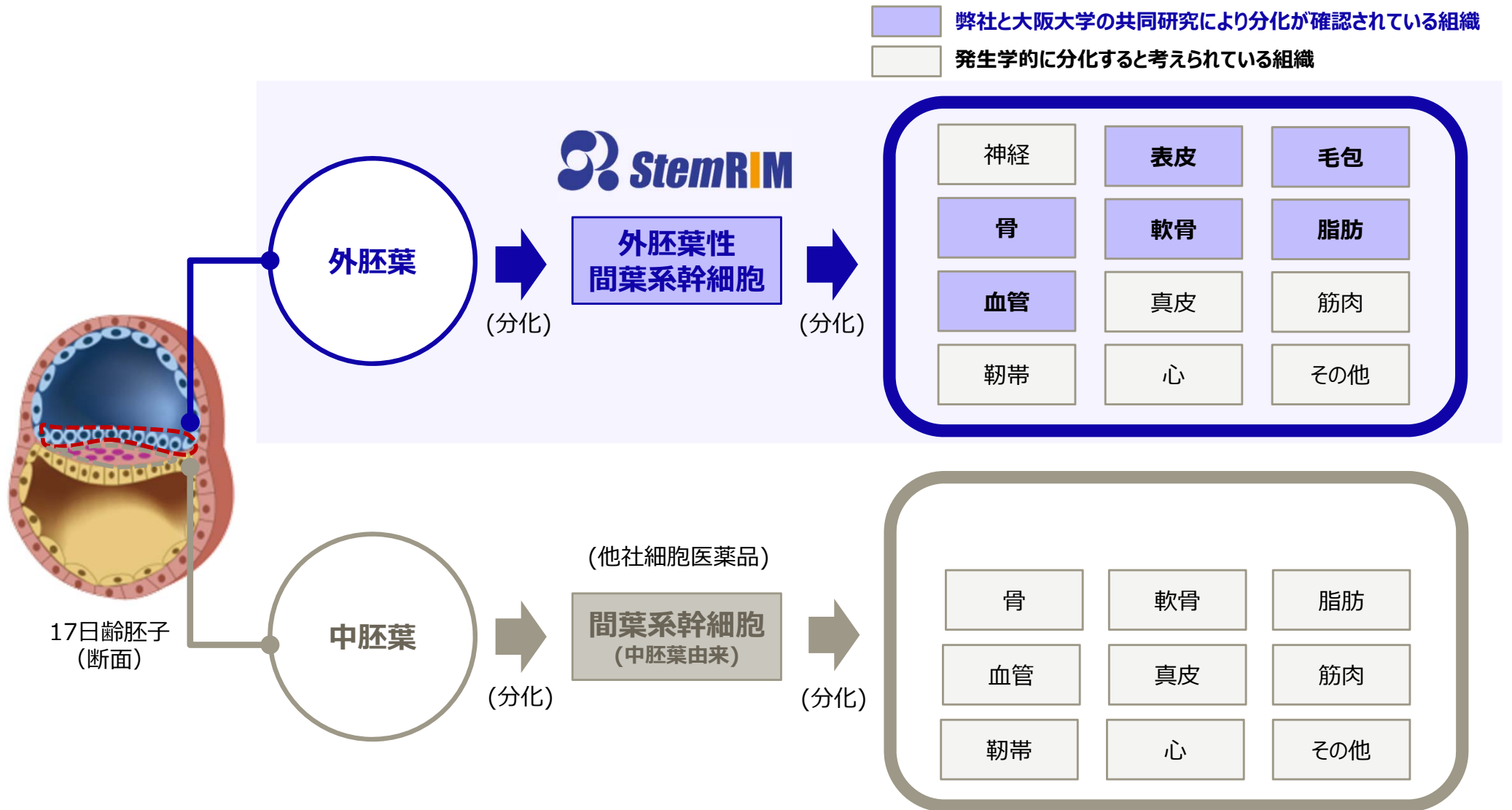


## 再生誘導医薬(HMGB1ペプチド)により、骨髄より動員される幹細胞は外胚葉性間葉系幹細胞



(出所) ヒト発生の3次元アトラスを改変、日本医事新報社

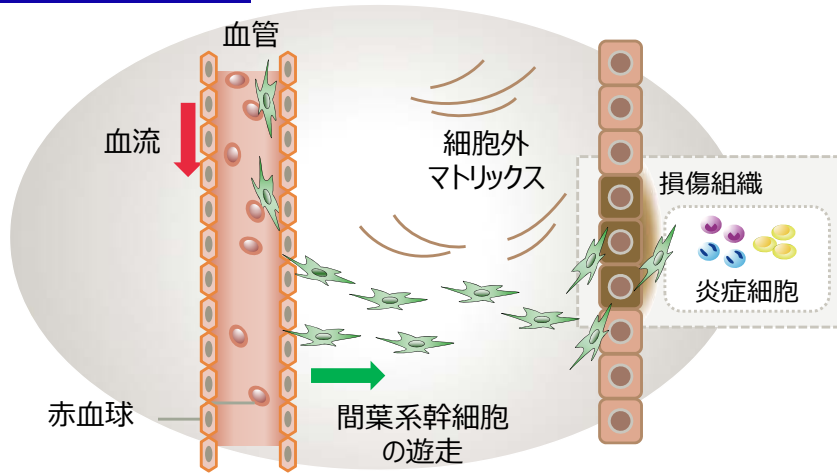
## 外胚葉性間葉系幹細胞は、高い多能性と組織分化能を有している



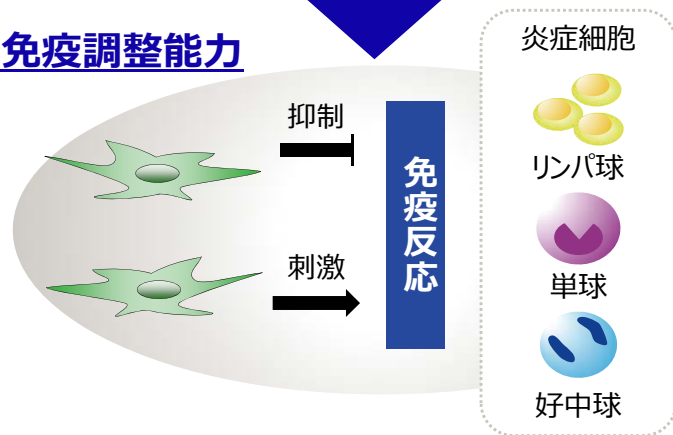
## 生体内間葉系幹細胞は5つの特徴的な能力を有する

### 間葉系幹細胞 ( ) の5つの能力

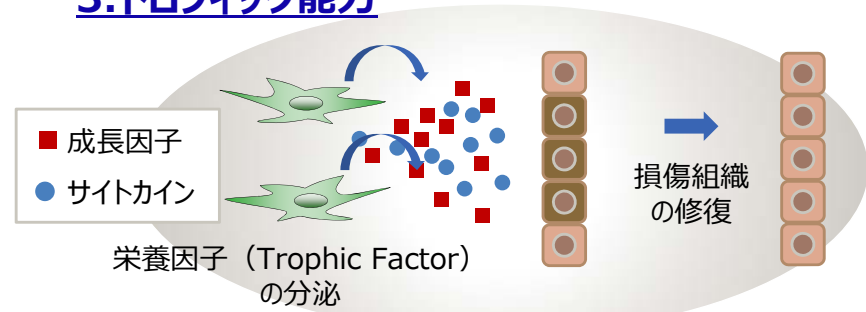
#### 1.細胞遊走能力



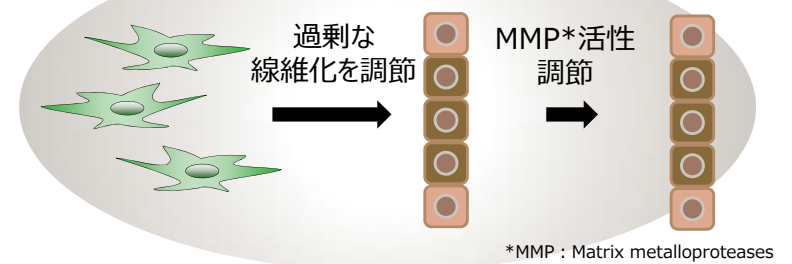
#### 2.免疫調整能力



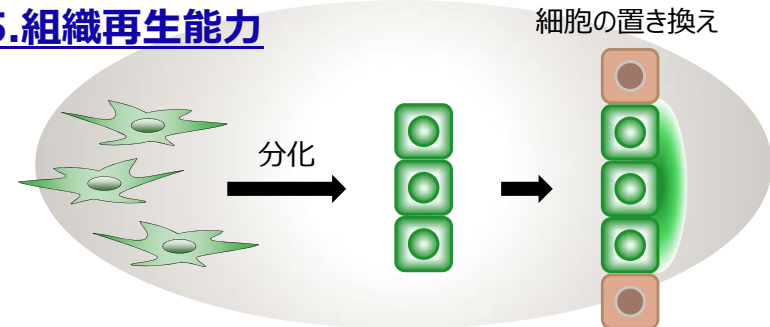
#### 3.トロフィック能力



#### 4.線維化調節能力

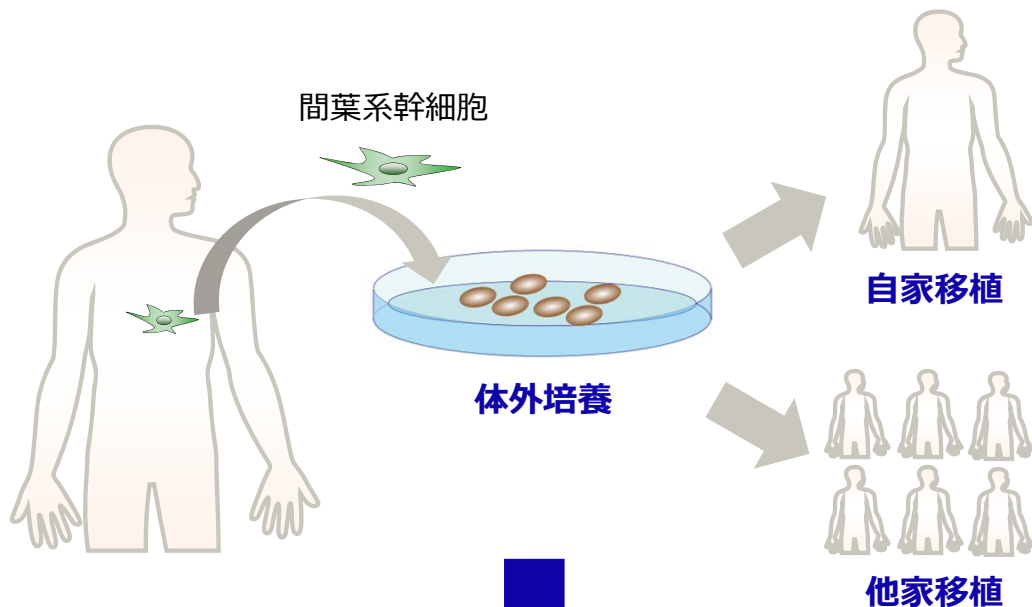


#### 5.組織再生能力



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

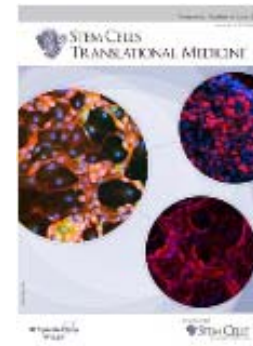


間葉系幹細胞は、生体外で培養される過程で  
間葉系幹細胞としての機能を喪失

(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!」

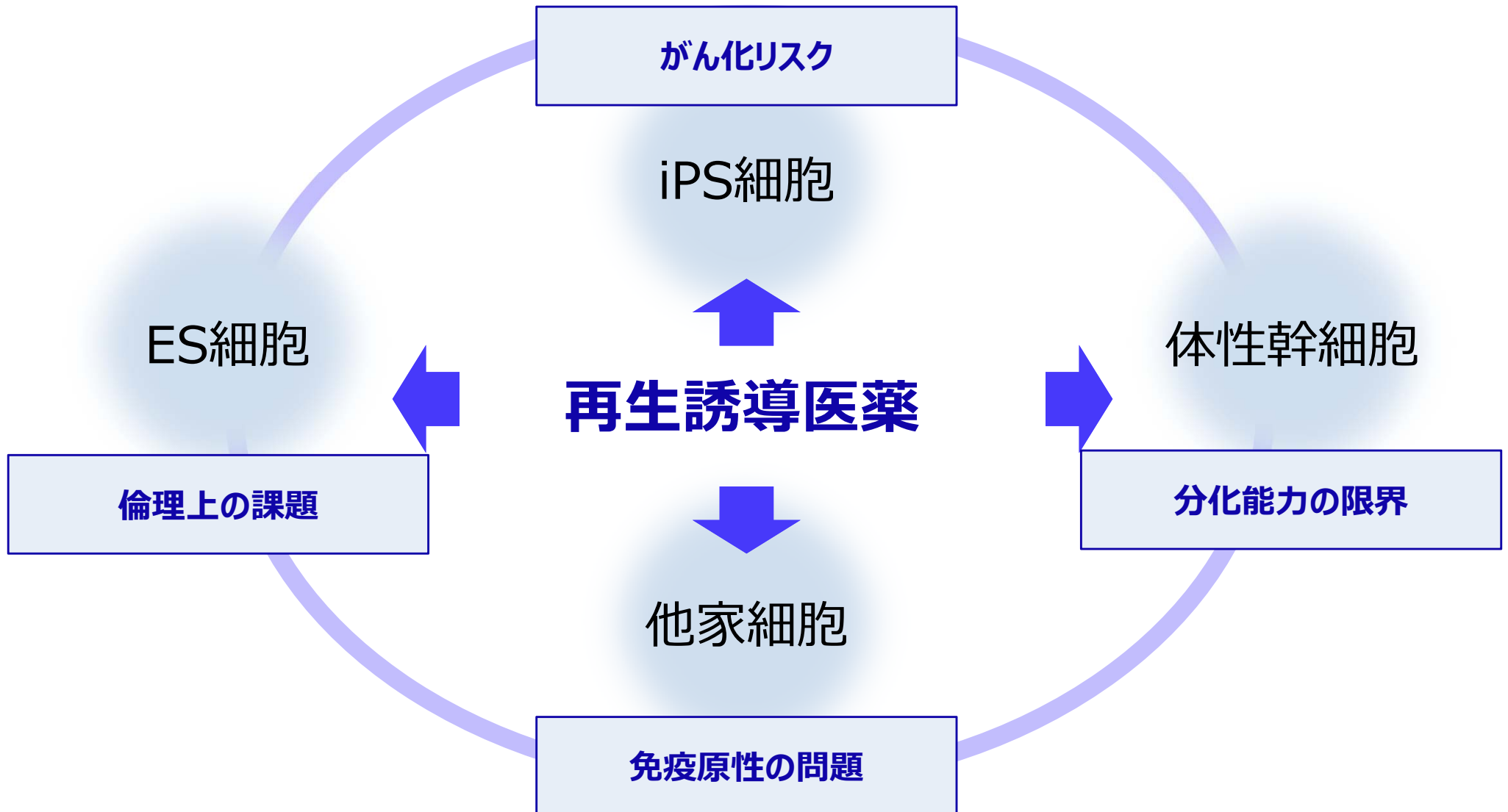
Arnold Caplan  
June 2017

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

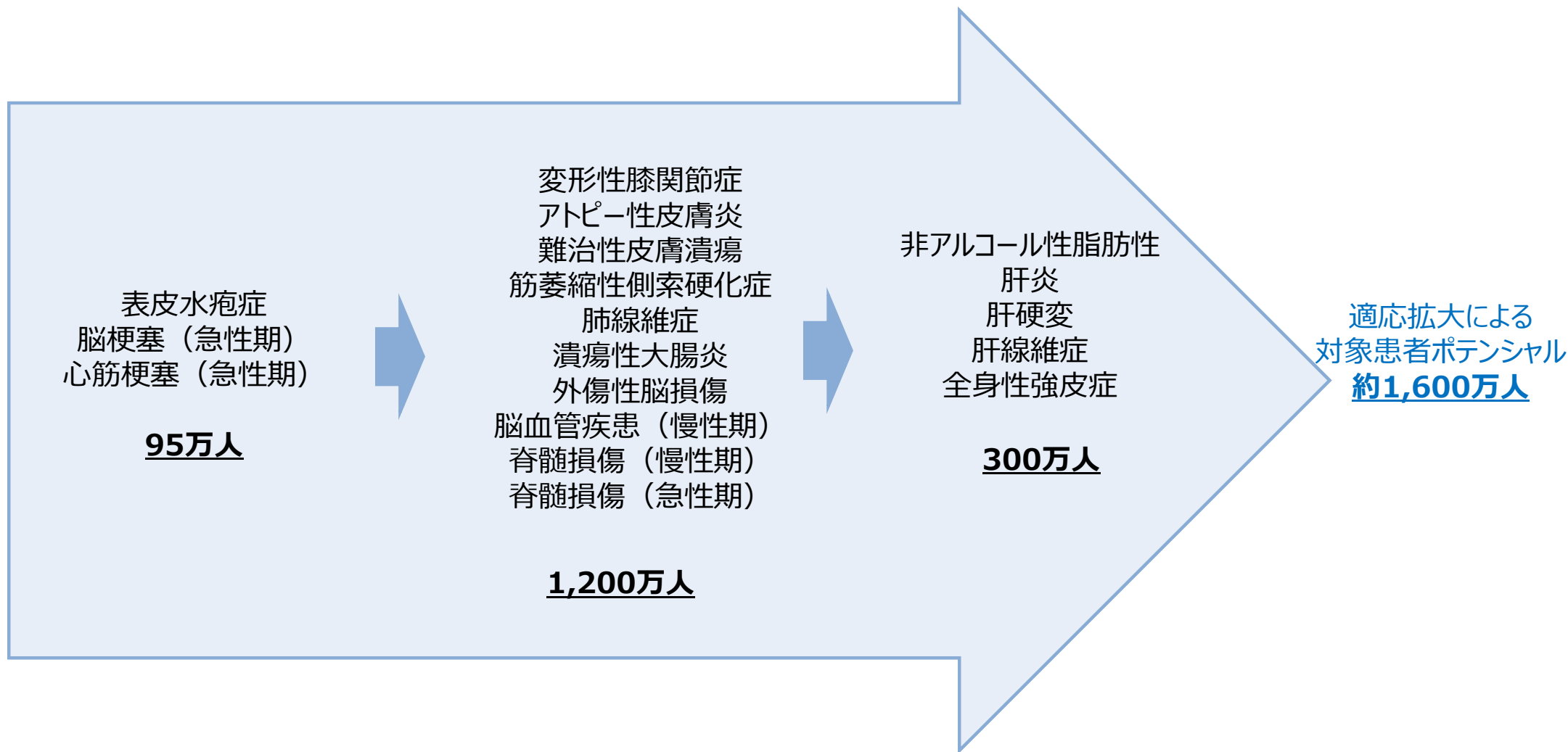
## 再生誘導医薬は従来型の細胞治療と化合物医薬品の両者の長所を兼ね揃える

		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

再生誘導医薬は、従来型の細胞治療の最大の4つの課題を解決可能



## 日本における適応拡大による対象患者の広がり



再生誘導技術基盤は細胞治療領域において様々なポテンシャルを有す



細胞治療の常識を  
変えることを目指す

外胚葉性間葉系  
幹細胞の効率的  
血中動員

損傷部位への  
効果的集積

血中幹細胞の  
採集と活用

自己幹細胞  
遺伝子治療

...

## 再生誘導技術基盤

細胞医薬品と同様、細胞を作用させる

高い安全性

コスト面での優位性

幅広く機能損傷疾患に効果が期待される