

株式会社ジーンテクノサイエンス

2021年3月期 第2四半期 決算補足説明資料

2020年11月6日



注意事項

この資料は株式会社ジーンテクノサイエンス（以下、当社という）をご理解いただくために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。

この資料に含まれている今後の戦略・計画、将来の見通し及びその他将来の事象等に関する記載には、本資料の発表時点において合理的に入手可能な情報に基づく当社の仮定、見込み等が含まれます。そのため、実際の業績、開発進捗等は、今後の研究開発の成否や将来における当局の対応、事業パートナーの状況等、現時点では不明又は未確定な要因によって、本資料の記載とは異なる結果となる可能性があります。



1. GTSとは

2. 2021年3月期 第2四半期事業ハイライト

- ・GBS-007 製造販売承認申請
- ・北海道大学及び総合せき損センターとの共同研究
- ・JRM-001製造販売承認申請に向け大きく加速

3. GTS3.0 成長戦略

4. パイプライン

5. 2021年3月期 第2四半期業績ハイライト



1. GTSとは

GTSが目指す事業の方向性



バイオで価値を創造する
エンジニアリングカンパニー

治療法が不十分な疾患に対する
医療を提供し、新しい領域を開拓する

—患者、家族、介護者を含め、包括的なケアを目指して—



GTSの注力領域

- ❖ 小児疾患（若年性疾患含む）
- ❖ 希少疾患
- ❖ 難病
- ❖ アジアの疾患

新規バイオ事業（再生医療／細胞治療）による新しい治療法の創出

創薬型ベンチャーから、自立と成長を備えるベンチャーに



- ✓ 北海道大学発のベンチャーとして起業
- ✓ バイオの基礎技術の獲得

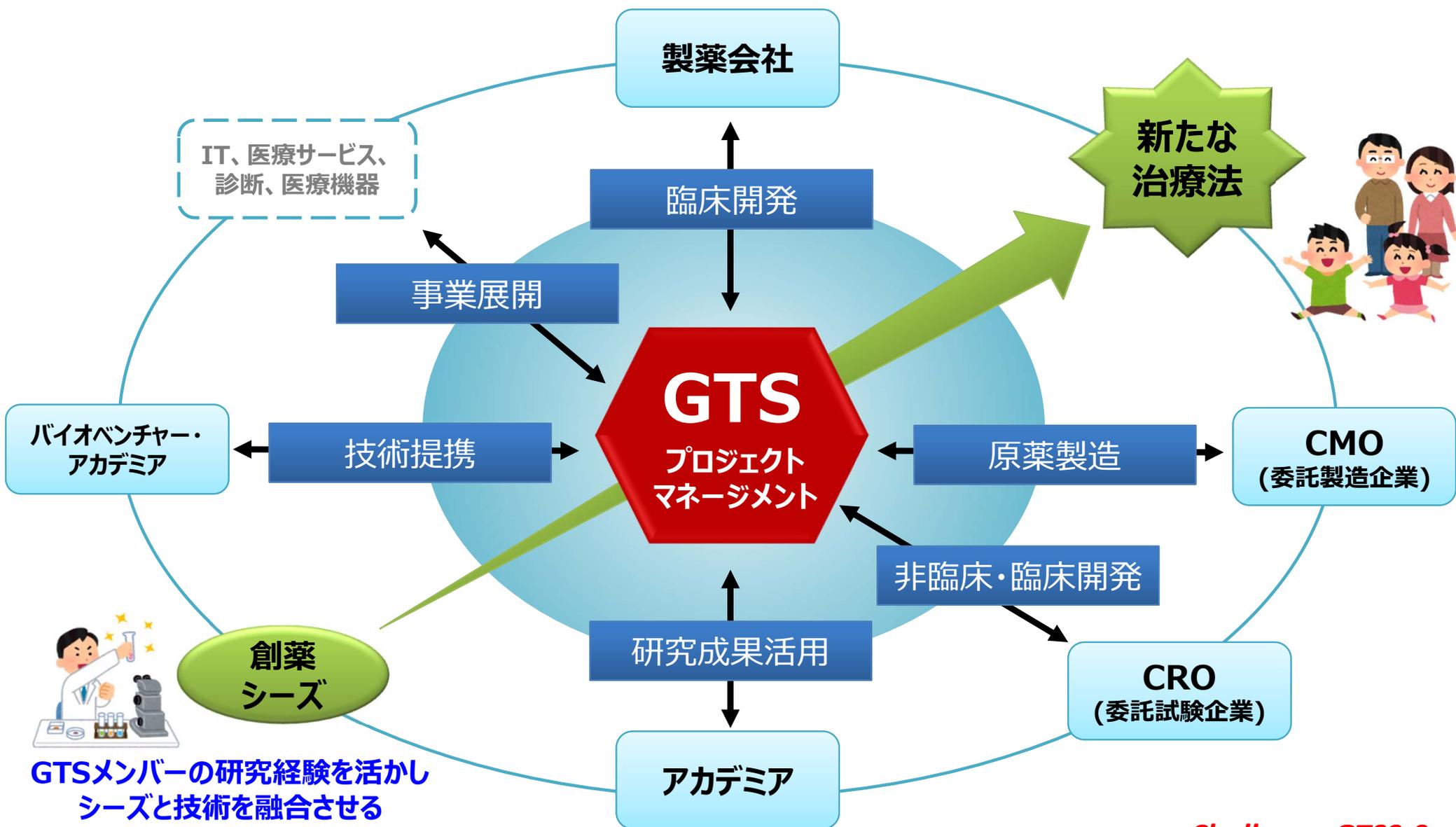
- ✓ バイオシミラー 1 製品を販売開始
- ✓ 東証マザーズ上場

- ✓ これまでに蓄積したバイオ技術を駆使して新たな価値をエンジニアリング

- ✓ 細胞治療への本格参入
- ✓ バイオシミラー事業で着実な黒字化

GTSの事業モデル（プロジェクトマネジメント力）

豊富な経験と外部委託を軸としたバーチャル型経営を最大限生かした開発力



GTSの事業モデル（ハイブリッド事業モデル）



成長性

新規バイオ
再生医療/細胞治療

バイオ新薬
抗体医薬

バイオシミラー

ハイリターン分野に果敢に挑戦

- 次世代抗体医薬品（ADC等）の開発
- 幹細胞を活用した再生医療
心臓内幹細胞、歯髄幹細胞が開発原料
- プロジェクトマネジメント力で様々な開発シーズに対応
- 新たな医療創出によりハイリターン獲得
- **実績**
(JRM-001 第3相臨床試験中)

早期収益化のバイオシミラー開発

- 比較的低リスクかつ短期間開発（5年程度）
- 競争に勝てる品目の選定（目利き力）
- 上市経験に基づく柔軟な開発力
- さらなる収益向上へのコスト低減策
- **実績**
(上市済2品目、承認申請中1品目)

自立性



2. 2021年3月期 第2四半期 事業ハイライト



2021年3月期 第2四半期 事業ハイライト

新規バイオ (再生医療/細胞治療)

- 東京大学医学部附属病院との連携による歯髄幹細胞製造の原料となる乳歯を提供頂くための臨床研究開始
- 北海道大学及び総合せき損センターとの歯髄幹細胞を活用した難治性骨折の治療法創出に向けた共同研究契約締結
+ ノーステック財団「研究開発助成事業」への採択決定
- JRM-001製造販売承認申請（2023年度中）に向け大きく加速
（第3相臨床試験における製造所追加）

バイオシミラー

- 長春長生生物科技有限責任公司とのアダリムマブバイオ後続品の共同事業化の提携解消
- 千寿製薬株式会社との眼科治療領域のバイオ後続品（バイオシミラー）の国内での医薬品製造販売承認申請

バイオ新薬

- 抗ヒト α 9インテグリン抗体の開発および製造・販売権に関するライセンス契約解約

細胞バンク・培養上清

- 同仁グループとの連携強化による新たな歯髄幹細胞事業体制の構築に関するお知らせ（さらなる連携体制整備のため、子会社セルテクノロジーの株式譲渡実行日を2020年12月31日に延期）



2. 2021年3月期 第2四半期 事業ハイライト

GBS-007 製造販売承認申請

GBS-007 製造販売承認申請

■ 開発品の概要	加齢黄斑変性症の治療薬 抗VEGF抗体薬ラニビズマブのバイオシミラー
■ 対象疾患 加齢黄斑変性症	加齢とともに眼球の中で視力をつかさどる黄斑に老廃物が蓄積あるいは黄斑部に新生血管が生じ、物が見えにくくなる病気
■ 開発パートナー 千寿製薬(株)	眼科・耳鼻科向けの医療用医薬品を広く手掛け、眼科領域に実績の高い国内有数の企業
■ 抗VEGF抗体薬市場	既存の加齢黄斑変性症 治療薬の国内市場 ルセンティス 国内 約250億円 アイリーア 国内 約600億円
■ 今後の展開	製造販売承認取得を目指す 国内のみならずより市場規模の大きい海外への展開も積極的に推進

バイオシミラー事業 3製品目の上市が現実的に



2. 2021年3月期 第2四半期 事業ハイライト

北海道大学及び総合せき損センターとの共同研究

子供の乳歯由来歯髄幹細胞で高齢者を救う

- 高齢者の骨折は治癒しにくく、日常生活に支障をきたす「**難治性骨折**」になりやすい
- 中でも多いのが**背骨(椎体)の骨折**で、その原因は、加齢による**骨粗しょう症**

国内の骨粗しょう症患者数は約1,300万人

男性**300万人**
女性**980万人**

このうち、**難治性骨折**の推計発生数は…

約**10万人/年**

新たな再生医療等製品の開発 難治性骨折の治療に活用

GTS



骨疾患の専門家

・北海道大学 整形外科学教室
・総合せき損センター



歯髄幹細胞
(骨再生に適性)



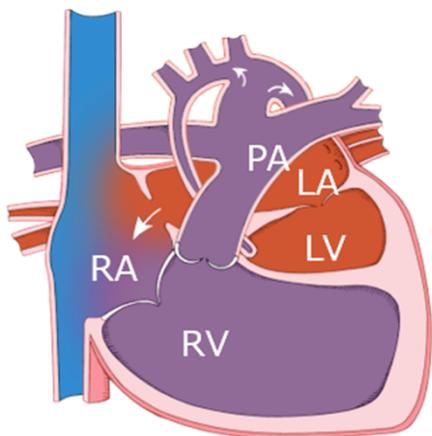
2. 2021年3月期 第2四半期 事業ハイライト

JRM-001製造販売承認申請に向け大きく加速

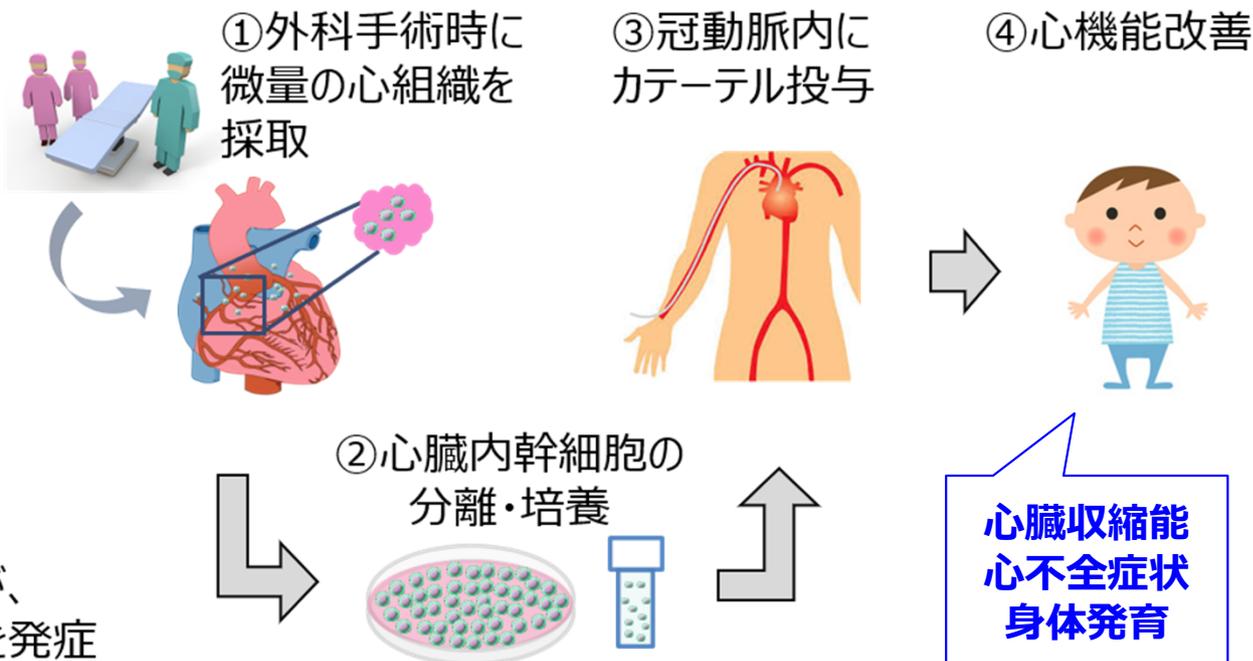
-第3相臨床試験における製造所追加-

新規バイオ事業：JRM-001（心臓内幹細胞）

代表的な機能的単心室症
左心低形成症候群（HLHS）



一般的な治療方法は外科手術だが、
予後頻繁に心機能低下や心不全を発症



心臓内幹細胞 Cardiac Stem Cells (CSCs)

- 造腫瘍性が低く**安全性が高い**。
- 様々な細胞種に分化する能力の他、**心機能再生に寄与すると考えられる因子を分泌**する能力を持つ。

小児先天性心疾患 （機能的単心室症）

- 発症者数は国内推定で**年間400～500名**程度。
- 代表的な機能的単心室症として**左心低形成症候群(HLHS)**が知られる。

JRM-001

- 手術後の心機能改善**を目指した細胞治療法。
- 現在、**検証的治験**を実施中。
- 「**先駆け審査指定制度**」対象品目に指定。

製造販売承認申請（2023年度中）に向け大きく加速

JRM-001のポイント

第3相臨床試験加速、将来の収益貢献が確実に

■ J-TECの参加で第3相臨床試験が加速

- ・ 治験薬の製造委託先にジャパン・ティッシュ・エンジニアリング（J-TEC）
- ・ 豊富な実績を持つJ-TECのプロジェクト参加により臨床試験が加速

■ 2023年度 製造販売承認申請予定

- ・ 翌2024年度に新たな再生医療等製品として発売開始予定

■ 世界初の治療法を届けると共にGTSの売上収益に貢献

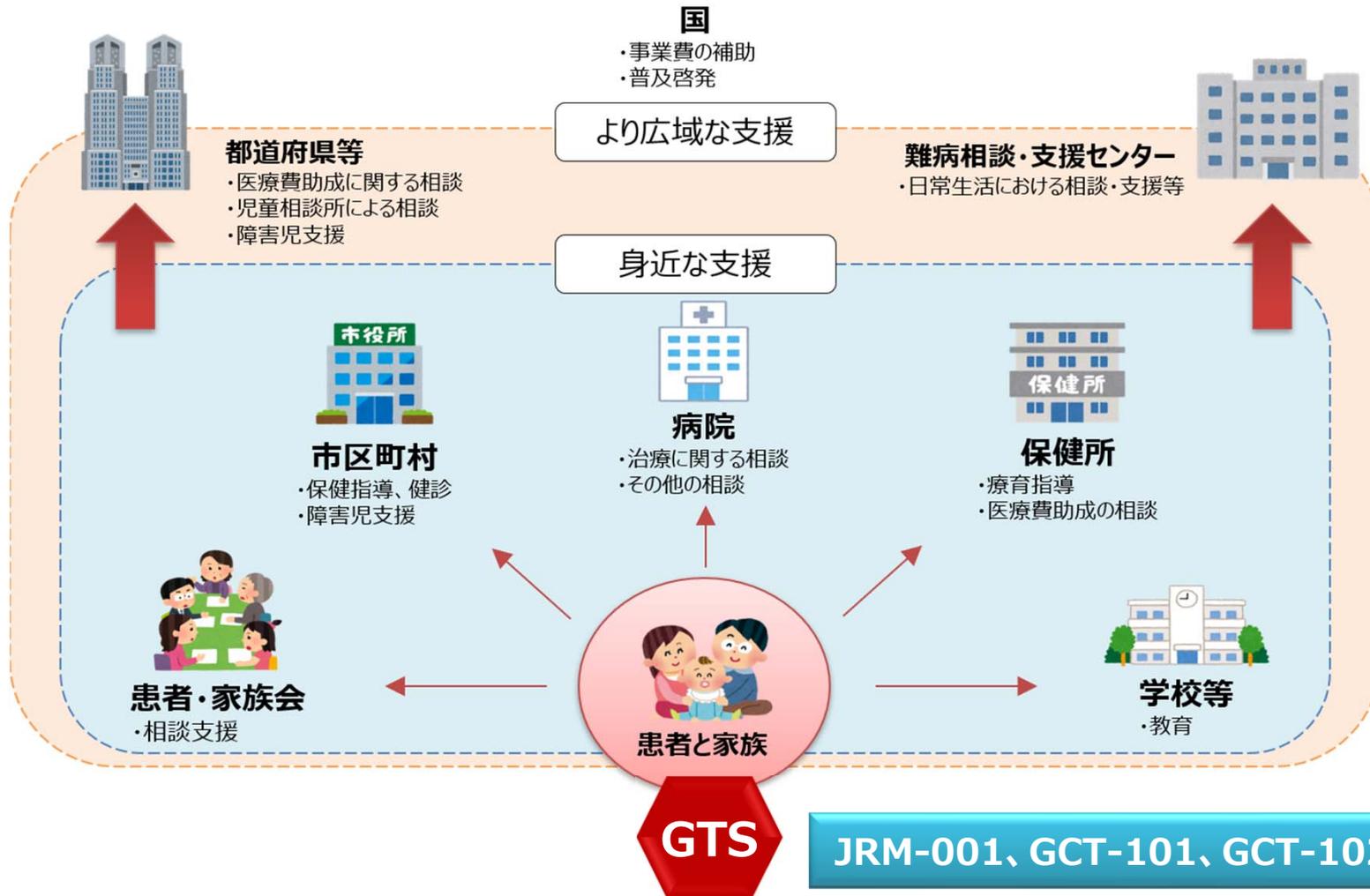
- ・ 既存治療法は外科的修復術。JRM-001併用により治療効果が向上

■ より大きな展開に向けて、他家向け・海外を見据える



小児患者を取り巻く環境

－全ての当事者を視野に入れた包括的なケアを目指して－



小児疾患に新たな治療法を提供し、患者とその家族や取り巻く
 支援環境への負担を軽減し、社会に貢献する
JRM-001で実現に近づく



3. GTS3.0 成長戦略

「GTS3.0とは？」

大学発ベンチャーからスタートしたGTSは 創薬型バイオエンジニアリングカンパニーとして早期の自立成長を目指す

- **開発体制**：医療技術の革新により多様化する次世代医療に対応した開発体制構築へ
 - ひとつの固有技術に依存せず、蓄積したバイオ技術で様々な開発シーズに対応
 - 外部委託を活用しながら小回りの利いた開発体制の構築
 - 再生医療分野では、心臓内幹細胞・歯髄幹細胞を活用
- **戦略領域**：主に小児疾患に対する新たな医療創出にチャレンジ
 - 時代は多くの罹患者に対する疾患医療の開発から希少疾患・難病治療に
 - 既に再生医療関連のパイプライン獲得済、50~100億円規模の市場を複数獲得へ
- **資金力**：BS事業の成功、金融機関からの借り入れでカバー
 - 比較的開発リスクが少なく早期収益化が見込めるBS事業で安定基盤を確立
 - 安定した経営母体によりハイリターン分野へも積極的にチャレンジ可能
- **開発パートナーの探索**：心臓内幹細胞、歯髄幹細胞のポテンシャルを証明
 - 再生医療では、多くの大学・企業と協働体制構築
 - 海外展開を視野に入れたアライアンス活動に幅を広げる

GTS3.0 事業ポートフォリオ

 成長性

 黒字化幅拡大

 黒字化実現

歯髄幹細胞

ORTHOREBIRTH
口唇口蓋裂

持田製薬
腸管神経節細胞僅少症

昭和大学
骨関連

東京都医学総合研究所
名古屋大学
東京医科歯科大学
脳性まひ

岐阜薬科大学
眼関連

大分大学
末梢神経麻痺

北海道大学、
総合せき損センター
難治性骨折

名古屋大学
脊髄損傷

心臓内幹細胞

JRM-001
左心低形成症候群/
機能的単心室症

業務提携

ニコン

昭和大学
産学連携

住商ファーマ

アイル

同仁

SOLA

chromo-
center

GPC

バイオシミラー

GBS-001
がん

GBS-007
眼疾患

GBS-011
腎疾患

GBS-004
がん

GBS-008
感染症

癸巳化成
GBS-012
眼疾患

GBS-005
免疫疾患

GBS-010
がん

新規抗体・製造法開発

GND-004
眼疾患

札幌医科大学
がん

GND-007
免疫疾患

MabGenesis
がん

再生医療

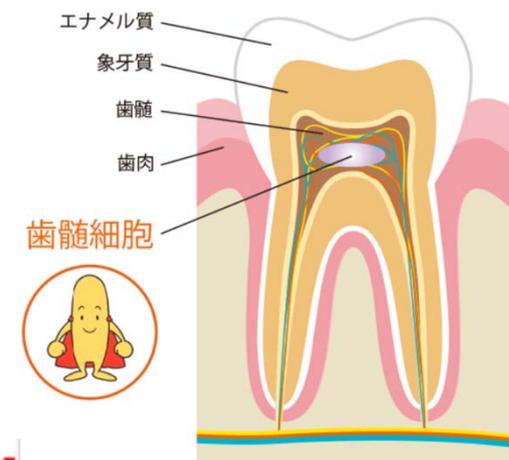
抗体医薬品

新規バイオ事業：歯髄幹細胞プロジェクト

対象疾患		パートナー	症状	治療法	患者数	治療目標
口唇口蓋裂	小児	ORTHOREBIRTH	摂食、言語障害	口唇形成術 + 腸骨移植	新生児 2,000人/年	顎骨再生
腸管神経節 細胞僅少症	小児	持田製薬	腸閉塞	腸管切除、人 工肛門造設	100人（指定 難病101）	神経節再生
脳性まひ	小児	東京都医学総合研 究所、名古屋大学、 東京医科歯科大学	四肢麻痺	未確立	新生児 2,000人/年	神経、血管再生
脊髄損傷		名古屋大学	運動機能/感覚 知覚機能 損失	未確立	5,000人/年、 10万人	神経再生
末梢神経麻痺		大分大学	運動・感覚機能 障害	神経再建術	8,000手術/ 年	末梢神経再生
難治性骨折		北海道大学 総合せき損センター	慢性痛、歩行障害	外科手術	10万人/年	骨再生
骨関連		昭和大学				
眼関連		岐阜薬科大学				

GTS3.0 歯髄幹細胞のポテンシャル

- 歯の内部(歯髄腔)に存在する**歯髄**から採取される幹細胞
- 特に乳歯(SHED)から採取された幹細胞は活動が活発であり、**高い修復・再生能力を持つ**
- 脱落歯から採取可能で、**採取タイミングが多く、ドナーへの負担が少ない**

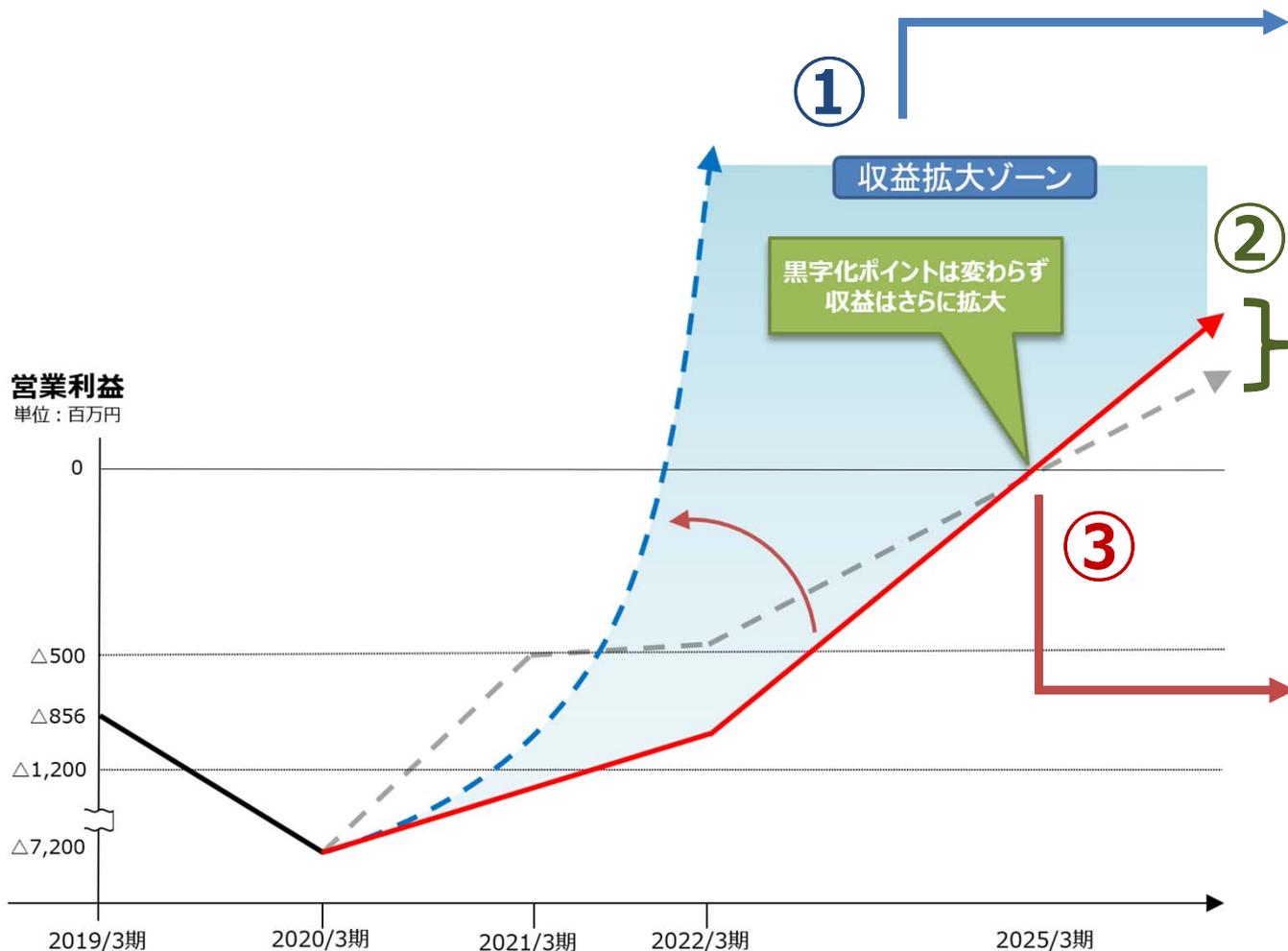


	骨髄	脂肪	臍帯(臍帯血)	歯髄(乳歯)
バンクの種類	公的	民間	公的、民間	民間
ドナー年齢	20歳以上55歳以下	大部分は20歳以上と推察	0歳	5-12歳程度
採取チャンス	骨髄移植時	脂肪吸引等の手術時	出産時(1回)	乳歯の生え変わり時(通常20回)
ドナーへの負担	高い	高い	非常に低い	低い
細胞増殖力	高い	高い	研究段階	非常に高い



GTS3.0 ロードマップ^o (再掲 2020年8月時点)

**ロードマップの進捗は順調
着実かつ早期の両面から黒字化を目指す**



① 成長性の追求

新規バイオ事業及びバイオ新薬事業に伴う契約一時金、開発マイルストーンでアップサイドを追求
2022～2025年度での前倒し黒字化の可能性が高める

② 黒字化幅の拡大

2025年以降、JRM-001の売上が収益の拡大に貢献

JRM-001のポテンシャル

- ✓ 対象患者数 (国内) 500人
- ✓ 参考：代替治療法の費用 約18百万円/人

③ 着実な黒字化

BS事業の売上のみでも2025年の黒字化を達成
GBS-001、011、007

細胞バンク・培養上清

同仁グループとの事業提携により拡大

安定的な利益をベースにハイリターンの事業領域を果敢に攻めていく新たなバイオエンジニアリングカンパニーに変貌

- ✓ フィルグラスチムBS、ダルベポエチンアルファBSに加え、今後4年間でGBS-007（ラニビズマブBS）、JRM-001を上市し、着実に利益基盤を強化
- ✓ バイオシミラー事業でのさらなるアップサイドの追求。利益の早期上乘せへ
- ✓ 製造コストの削減推進（フィルグラスチムBSで実現した施策を他製品にも適用）
- ✓ 上記安定的な利益をベースに、再生医療、バイオ新薬によるパートナーリングも加速化、利益のさらなる積み上げを追求。将来的な企業価値を確実に向上へ



早期黒字化計画を現在精査中、2021年2月に公開予定



4. パイプライン

開発番号	対象疾患	開発研究	臨床試験（治験）		申請・審査 承認・上市	提携先
			第1相	第3相		
GBS-001 フィルグラスチム	がん					富士製薬工業(株) 持田製薬(株)
GBS-004 ペバシズマブ	がん					
GBS-005 アタリムマブ	免疫疾患					
GBS-007 ラニピズマブ	眼疾患				NEW!	千寿製薬(株) Ocumension Therapeuticsへ導出（中国 及び台湾）
GBS-008 バリピズマブ	感染症					
GBS-010 ペグフィルグラスチム	がん					
GBS-011 ダルベポエチンアルファ	腎疾患					(株)三和化学研究所
GBS-012 アフリバルセプト	眼疾患					癸巳化成(株)

開発番号	対象疾患	基礎研究	開発研究	臨床試験（治験）			申請・審査 承認・上市	提携先
				第1相	第2相	第3相		
GND-004 抗RAMP2抗体	眼科疾患、がん							導出活動中
GND-007	免疫疾患							
新規抗体	がん							札幌医科大学
	がん							MabGenesis(株)

新規バイオ事業（再生医療／細胞治療）

開発番号	対象疾患	基礎研究	非臨床試験	探索的試験 (第1相、第2相)	検証的試験 (第3相)	承認	上市 (市販後調査)
心臓内幹細胞 JRM-001	心機能の改善						

開発番号	対象疾患	基礎研究	臨床試験 (治験)	条件・期限 付き承認※	市販 (市販後に有効性、 更なる安全性を検証)	承認	継続して 販売	共同研究企業・大学等
GCT-101	口唇口蓋裂							ORTHOREBIRTH(株)
GCT-102	腸管神経節細胞僅少症							持田製薬(株)
歯髄幹細胞	骨関連							昭和大学
	眼関連							岐阜薬科大学
	脳性まひ							東京都医学総合研究所 名古屋大学医学部附属病院 東京医科歯科大学
	末梢神経麻痺							大分大学
	脊髄損傷							名古屋大学
	難治性骨折							北海道大学 総合せき損センター

※再生医療等製品の早期実用化に対応した承認制度
患者にリスクを説明・同意を得て、先行して使用し、市販後の安全対策を講じる。



5. 2021年3月期 第2四半期 業績ハイライト

業績ハイライト

◆ 2021年3月期第2四半期の実績

- ✓ 第2四半期の売上高は年間計画通り
- ✓ 研究開発費は開発スケジュールの関係上、下期に大きく計上予定
業績予想に変更はなし
- ✓ 研究開発活動自体は順調に進捗
- ✓ 新型コロナウイルス感染症の拡大に伴う業績への影響はない

2021年3月期 第2四半期業績・連結

◆ 2021年3月期 第2四半期業績（2020年4月1日～2020年9月30日）

	売上高 (百万円)	販売費及び一般管理費 (百万円)		営業利益 (百万円)	経常利益 (百万円)	親会社株主に 帰属する 四半期純利益 (百万円)	1株当たり 四半期純利益 (円)
		合計	内 研究開発費				
連結 2021年3月期 第2四半期 実績	174	817	403	△682	△693	△696	△24.49
(参考) 2021年3月期 業績予想値	972		1,720	△1,672	△1,688	△1,691	

主なポイント

- フィルグラスチムバイオシミラーは、納品スケジュールの関係上、計上無し
- 開発進捗に伴うマイルストーン及びロイヤリティ等の収益を含む

- 研究開発費は主にバイオシミラー事業の推進に支出
- 研究開発は順調に進捗



GENE TECHNO SCIENCE

株式会社ジーンテクノサイエンス



バイオで価値を創造するエンジニアリングカンパニー