



事業計画及び 成長可能性に関する事項

2022年10月27日
株式会社ステムリム

Center of Medical Innovation
and Translational Research

最先端医療イノベーションセンター



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

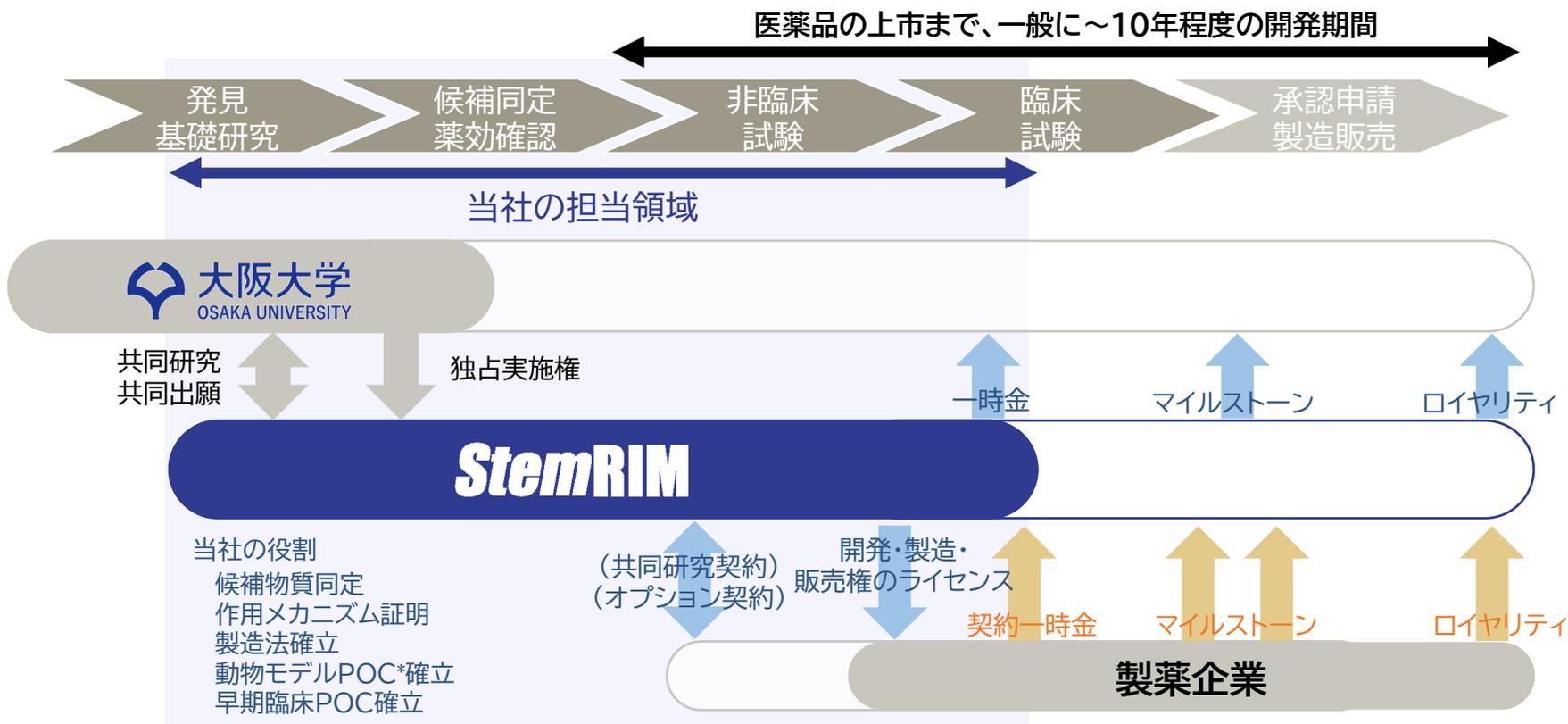
株式会社ステムリムは、「再生誘導医薬[®]」の開発を目指すバイオ企業です。

「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
笑顔をお届けできる未来を目指します。

※「再生誘導」、「再生誘導医薬」、「再生誘導医学」、「再生誘導医療」は
ステムリムの登録商標です。

1 ビジネスモデル及び研究開発体制



国内・海外の製薬企業に対して、製品の開発権、製造権、販売権等をライセンスアウトすることで収入を得る事業モデル。主な収入は下記の通り。

- ✓ 契約一時金 共同研究やライセンス許諾の契約時に一時金として得られる収入
- ✓ マイルストーン収入 医薬品の開発段階/販売の目標達成時に得られる収入
- ✓ ロイヤリティ収入 製品が上市された後に売上高に応じて得られる収入
- ✓ 共同研究収入 当社の知的財産を活用した共同研究の実施と対価として得られる収入

*POC(Proof of concept):研究開発中である新薬候補物質の有用性・効果が、動物もしくはヒトに投与することによって認められること。

製薬企業との主な契約について

名称 (締結年月)	相手先	契約内容 ※一部抜粋	契約金額の 総額	受領済みの 契約金額
実施許諾契約 (2014年11月)	塩野義製薬 株式会社	<ul style="list-style-type: none"> ・再生誘導医薬レダセムチド(HMGB1ペプチド)又は同化合物を有効成分として含有する医薬品の医薬品用途、及びそれらの製法又は製剤に関連する全世界における特許に基づき、全世界において先行化合物および先行製品の医薬品用途での独占的な開発、製造、使用又は販売するための再実施許諾権付のライセンスを付与する。 ・許諾の対価としてステムリムは契約一時金、マイルストーン収入及びロイヤリティ収入を受領する。 	非開示*	1,696百万円
再生誘導医薬開発 品レダセムチドの複 数の疾患に対する 臨床開発を加速度的 に展開していくた めの契約 (2020年6月)	塩野義製薬 株式会社	<ul style="list-style-type: none"> ・再生誘導医薬レダセムチド(HMGB1ペプチド)に係る非臨床研究エビデンスを活用し、心筋症、変形性膝関節症、慢性肝疾患を対象とした医師主導治験を進める。 ・許諾の対価としてステムリムは受領条件達成に基づく一時金を受領する。 	3,100百万円	3,100百万円

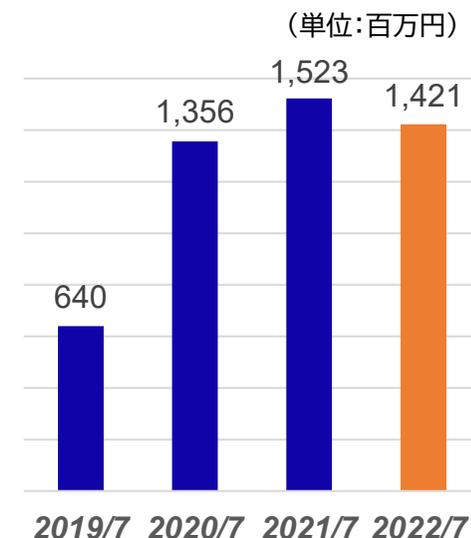
*当該契約に係る契約金額の総額は契約上の守秘義務のため非開示としております。

業績の推移(損益計算書)

(単位:百万円)

	2021年7月期 通期実績	2022年7月期 通期実績	増減	備考
事業収益	1,400	22	-1,377	(21.7期) PJ1レダセムチドの適応拡大に向けた 一時金収入 (22.7期) 研究データの使用許諾による一時金 収入
研究開発費	1,523	1,421	-102	(21.7期) 動物実験施設開設時の設立費用等
事業費用	1,993	2,003	+9	
営業損失(△)	△593	△1,980	-1,387	
営業外収益	12	8	-4	
営業外費用	2	0	-2	
経常損失(△)	△583	△1,972	-1,388	
特別利益	7	26	+18	(22.7期) 退職による新株予約権戻入益の発生
税引前当期純損失(△)	△576	△1,946	-1,370	

研究開発費推移



2023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~1,600百万円
一般管理費に係る現金支出	230百万円~300百万円

業績の推移(キャッシュ・フロー計算書)

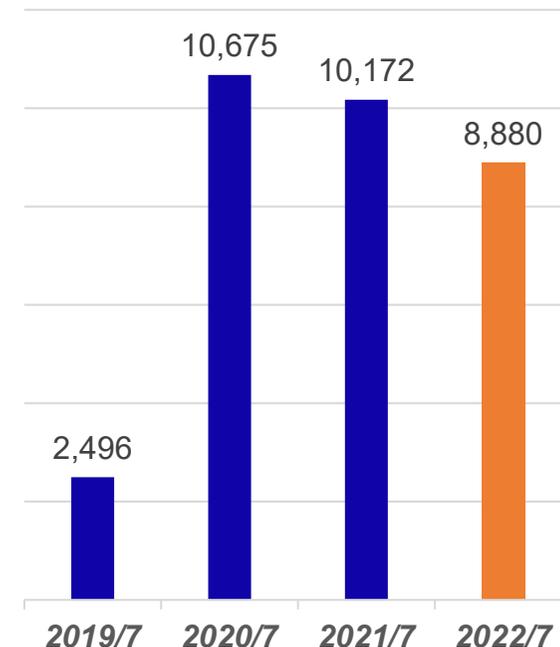


(単位:百万円)

		2021年7月期 通期実績	2022年7月期 通期実績	備考
	税引前当期純 損失(△)	△576	△1,946	
営業活動による キャッシュ・フロー		△519	△1,404	(22.7期) 株式報酬費用 555百万円 減価償却費 49百万円
投資活動による キャッシュ・フロー		△92	△0	(21.7期) 動物実験施設開設に伴う研究設備導 入費用
	株式の発行 による収入	112	115	新株予約権の行使による増加
財務活動による キャッシュ・フロー		109	112	
現金等の増減額		△503	△1,292	
現金等の期首残高		10,675	10,172	
現金等の期末残高		10,172	8,880	

期末現預金残高推移

(単位:百万円)



2026年までの研究開発活動のための十分な資金を確保

業績の推移(貸借対照表)

(単位:百万円)



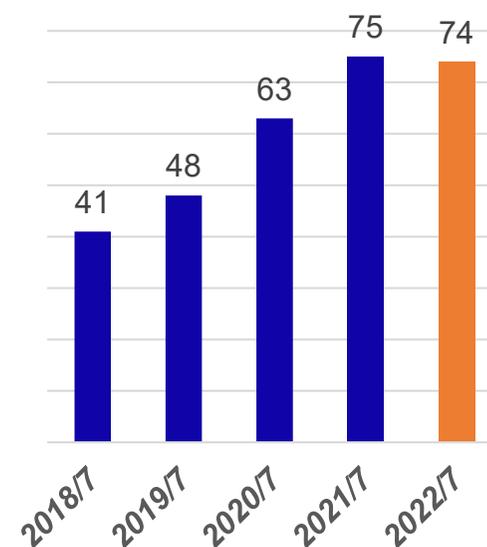
	2021年7月期末	2022年7月期末	増減	備考
現預金	10,172	8,880	-1,292	
流動資産	10,497	9,262	-1,234	
固定資産	411	334	-77	減価償却による減少 77百万円
資産合計	10,909	9,597	-1,311	
流動負債	87	71	-15	未払金の減少 17百万円
固定負債	125	120	-4	
負債合計	212	192	-20	
純資産合計	10,696	9,404	-1,291	
負債純資産合計	10,909	9,597	-1,311	

役職員数*	75名	74名
-------	-----	-----

*役員+従業員(派遣社員を含む)

役職員数推移

(単位:人)





当社サイエンティフィックファウンダー・取締役／
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

<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

研究開発体制



大阪大学、再生誘導医学協働研究所と連携し、再生誘導医薬における共同研究開発を推進



大阪大学
OSAKA UNIVERSITY



大阪大学大学院医学系研究科
再生誘導医学寄附講座 教授
玉井 克人







再生誘導医学協働研究所

再生誘導医学協働研究所 所長
大阪大学 大学院医学系研究科保健学専攻 教授
胎児診断治療センター 副センター長
遠藤 誠之

アカデミアと企業(ステムリム)が、最先端の研究成果と情報を迅速かつ効率的に共有し、多様な疾患に対して再生誘導医療の迅速な臨床応用を目指す。
大阪大学の協働研究所をプラットフォームとして、他大学(海外を含む)との連携も可能。

組織図

所長

共同研究コーディネーター

保健学研究部門

生命機能研究部門

医学研究部門

歯学研究部門

創薬研究部門



↑ 共同研究

共同開設







代表取締役会長CEO
富田 憲介



代表取締役社長執行役員
岡島 正恒

組織図

代表取締役

社長室

シーズ探索部

基礎研究部

探索薬理部

医薬研究部

事業開発部

知財部

開発部

経営管理部

人員構成

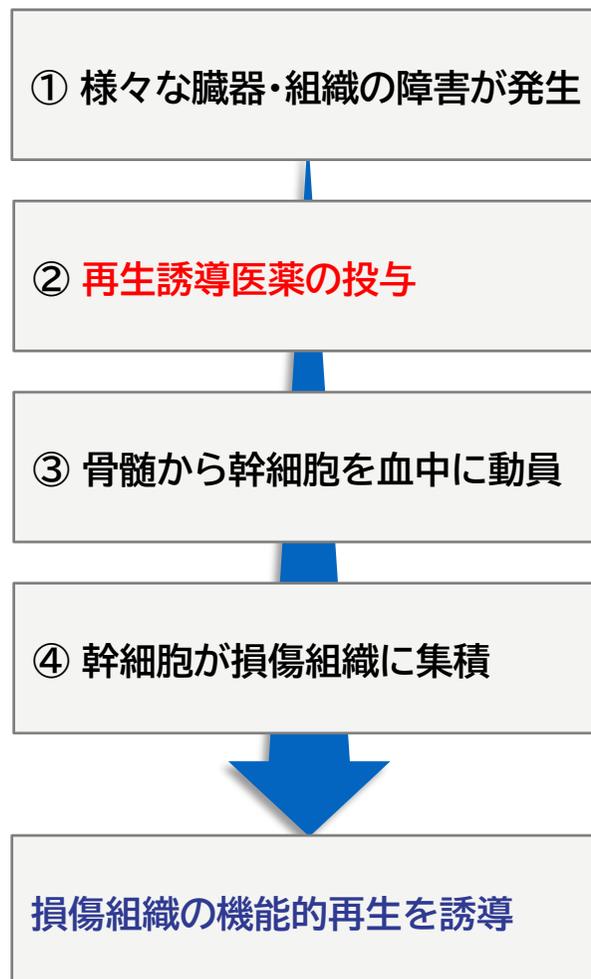
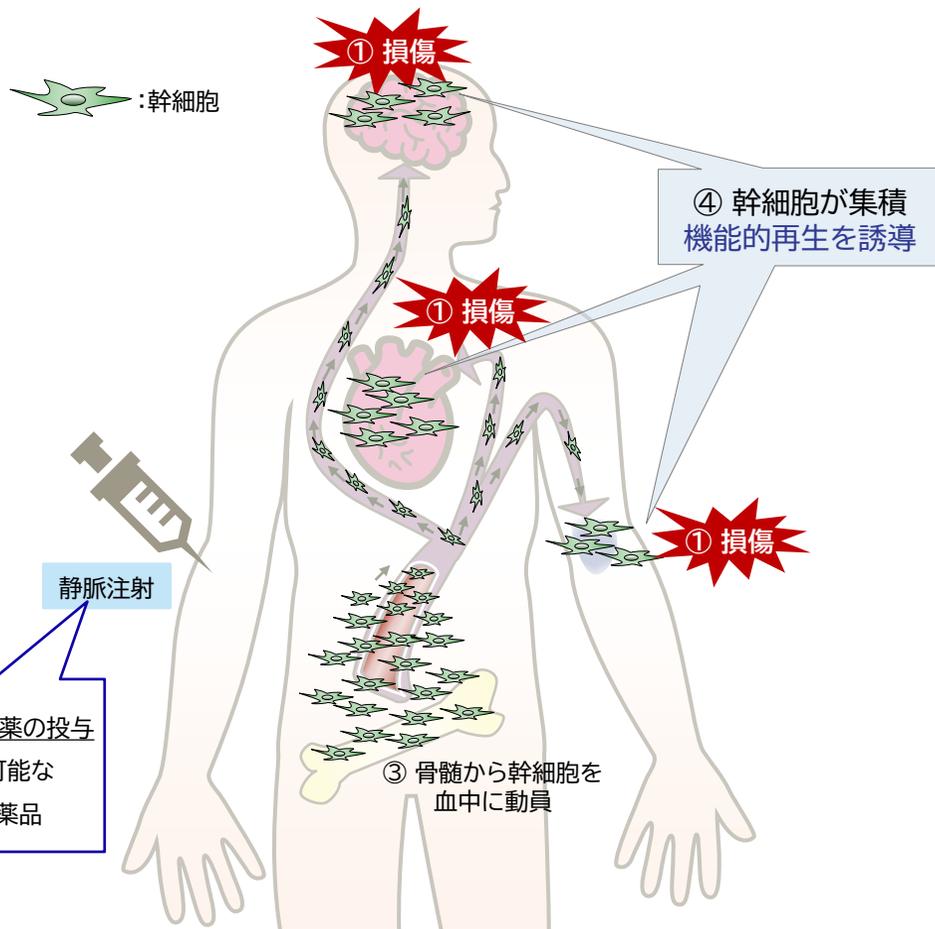


67名
管理部門, 7名
研究職, 60名
(うちPh.D.26名)

*2022年7月末時点、役員を除く

2 再生誘導医薬コンセプト

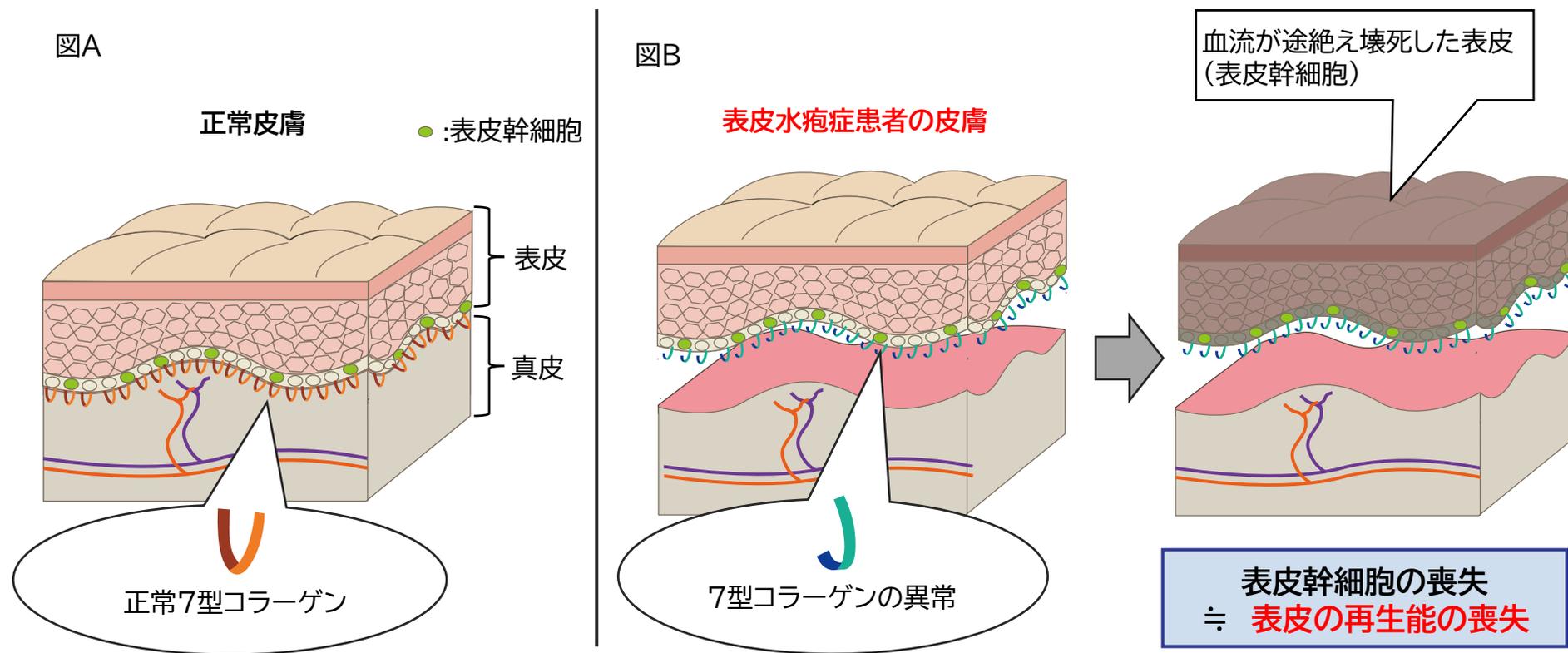
再生誘導医薬の静脈投与により血中に動員された生体内間葉系幹細胞が体内の損傷組織に集積し機能的再生を誘導



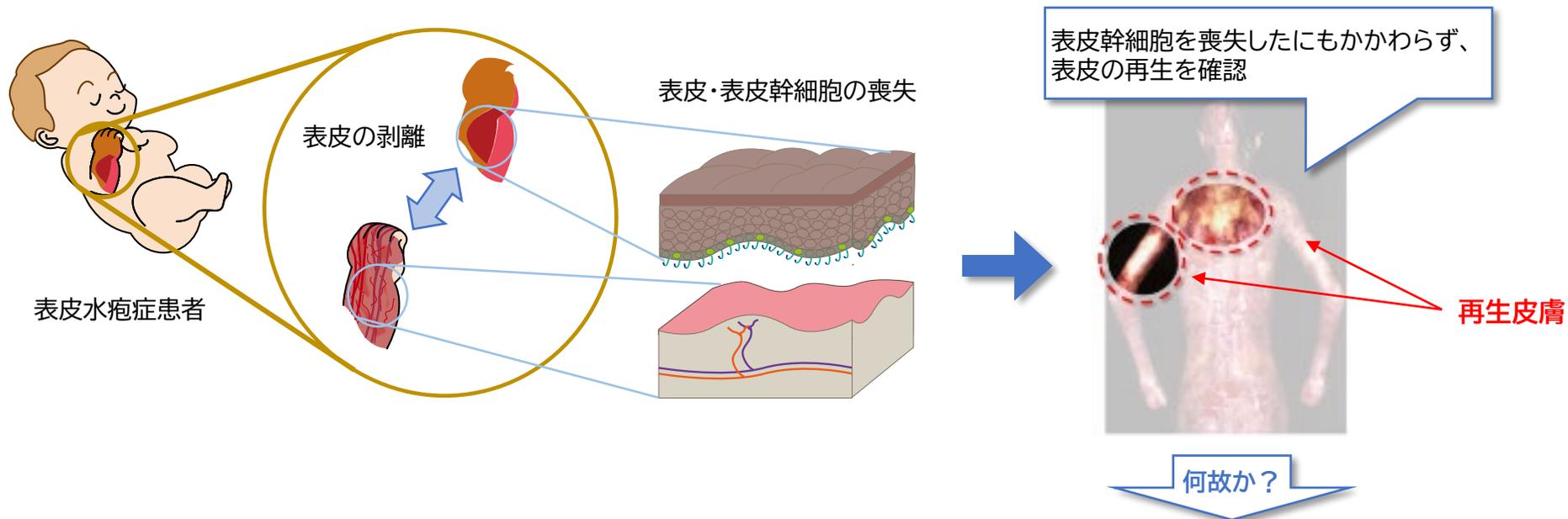
ひょうひすいほうしょう

・正常皮膚と表皮水疱症の皮膚

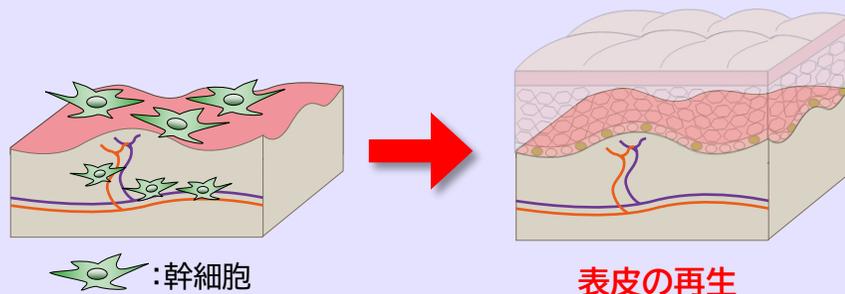
正常皮膚(図A)は7型コラーゲンが接着剤のように機能し、皮膚の表層である表皮と真皮を接着している。先天性表皮水疱症(図B)では7型コラーゲンの異常により、わずかな刺激で容易に表皮と真皮が剥離する。表皮細胞を供給する役割を持つ表皮幹細胞は表皮に存在するため、表皮水疱症患者さんの皮膚からは表皮幹細胞が喪失し、表皮の再生能力は失われる。



「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



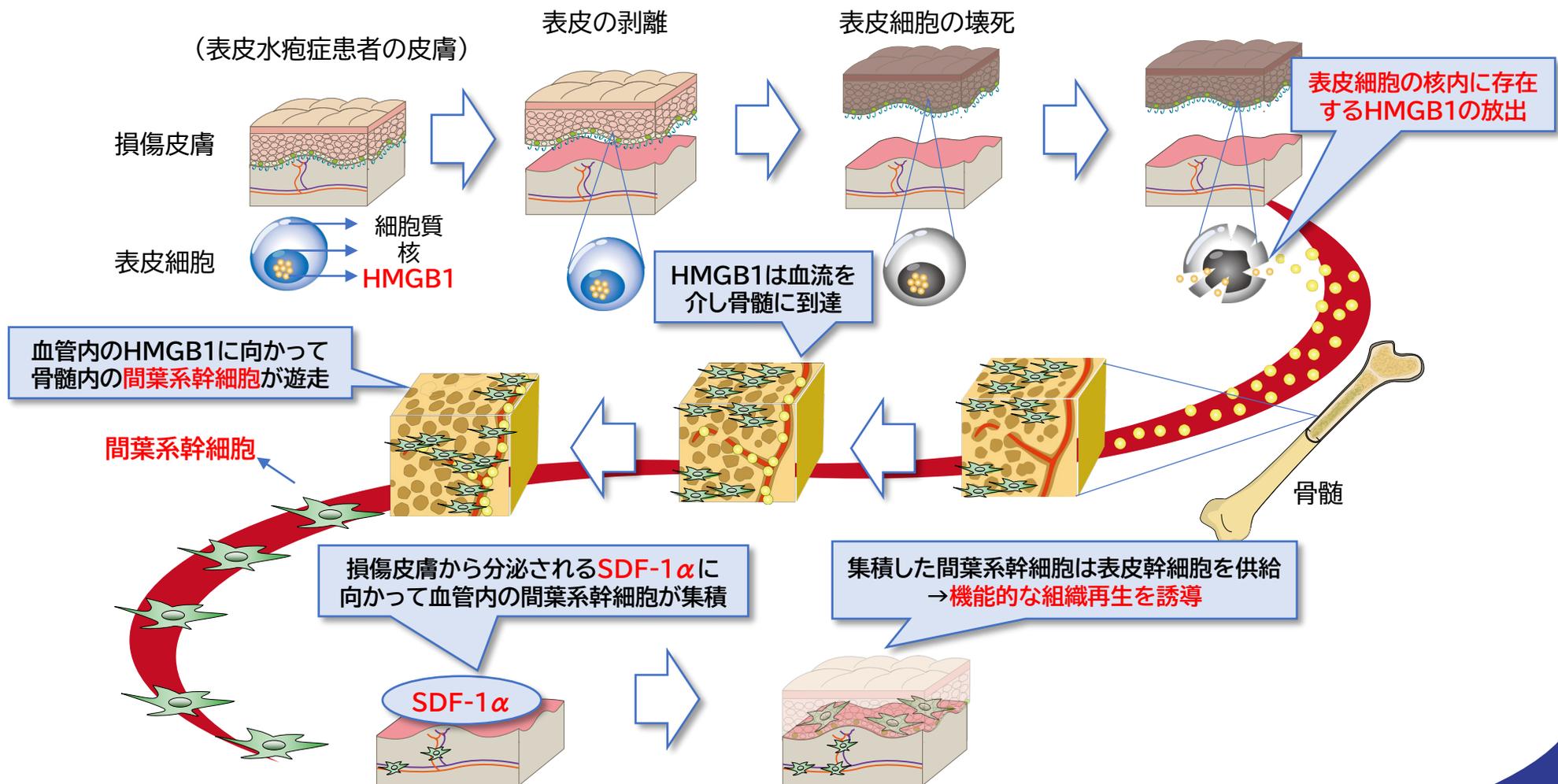
血流を介し幹細胞が補充されている可能性



血流を介した生体内
幹細胞補充メカニズム仮説の想起

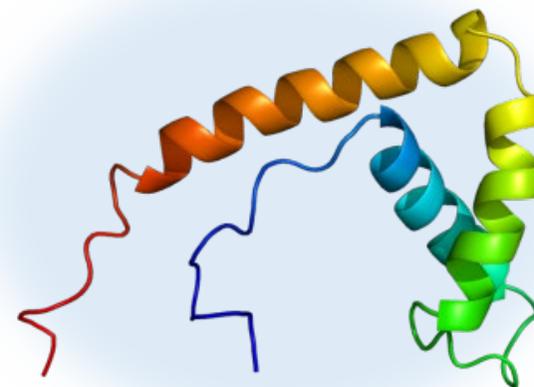
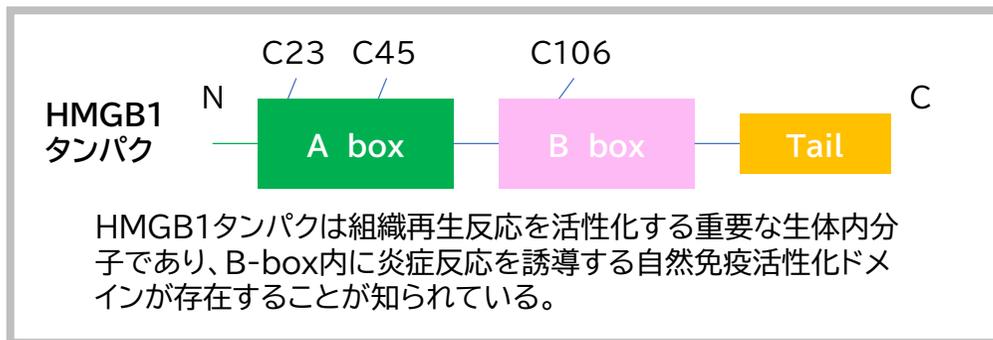
参考文献:
医学のあゆみ Vol.265 No.5 463-468;2018
皮膚病診療;41(1);7-12,2019
写真提供:大阪大学(玉井教授)

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再生誘導医薬HMGB1ペプチド(レダセムチド)

自然免疫活性化ドメイン(B-box)を含まないKOI2ドメインの化学合成ペプチドは、炎症反応を喚起せずに間葉系幹細胞動員活性のみを持つ、安全性の高い再生誘導ペプチド医薬。

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

「再生誘導」の根幹となる骨髄間葉系幹細胞活性化ドメイン(KOI2ドメイン)はA-box内に存在することが明らかになった。

- 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

ヒト発生期における表皮の形成

カーネギー発生段階(脊椎動物胚の発生段階)

発生1日目

10

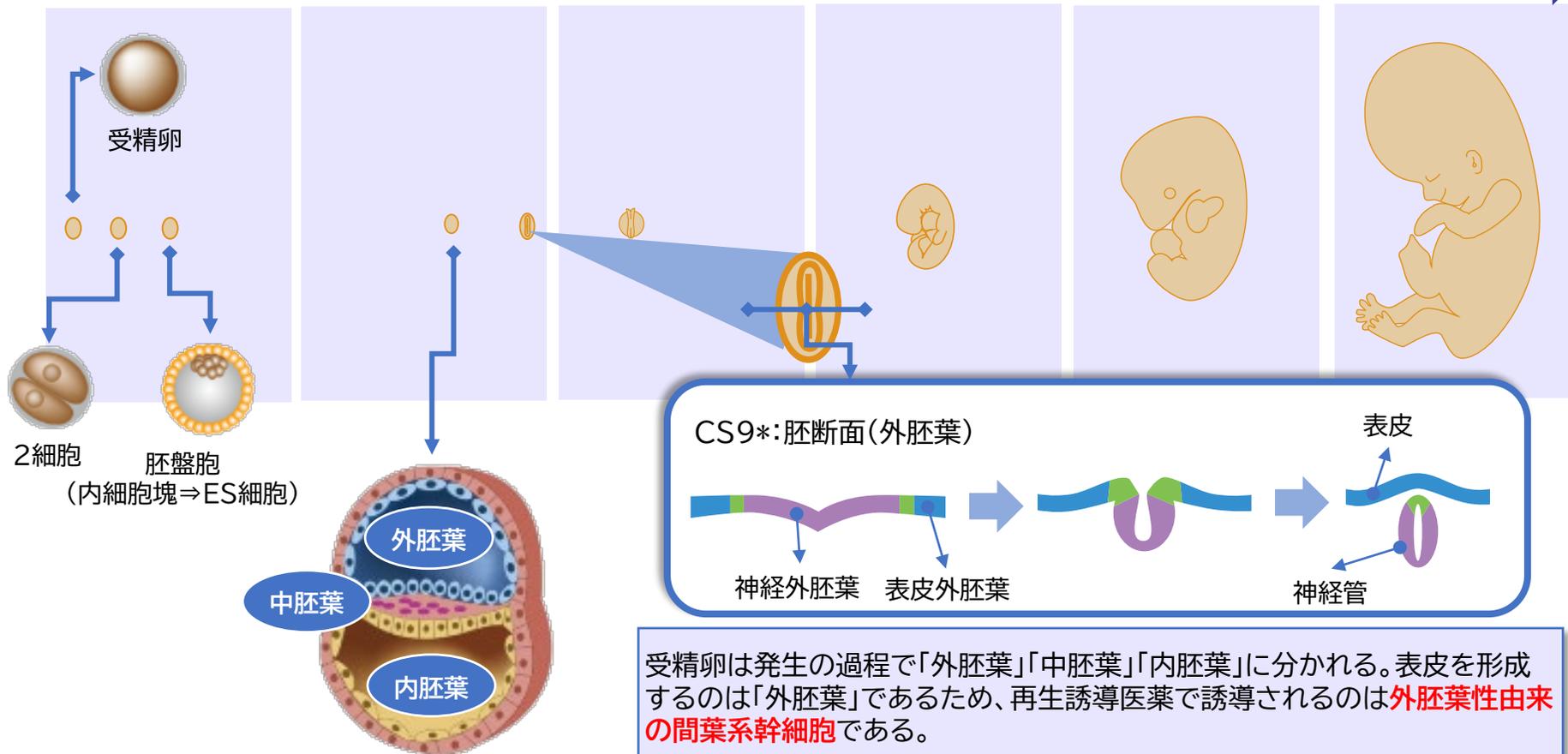
20

30

40

50

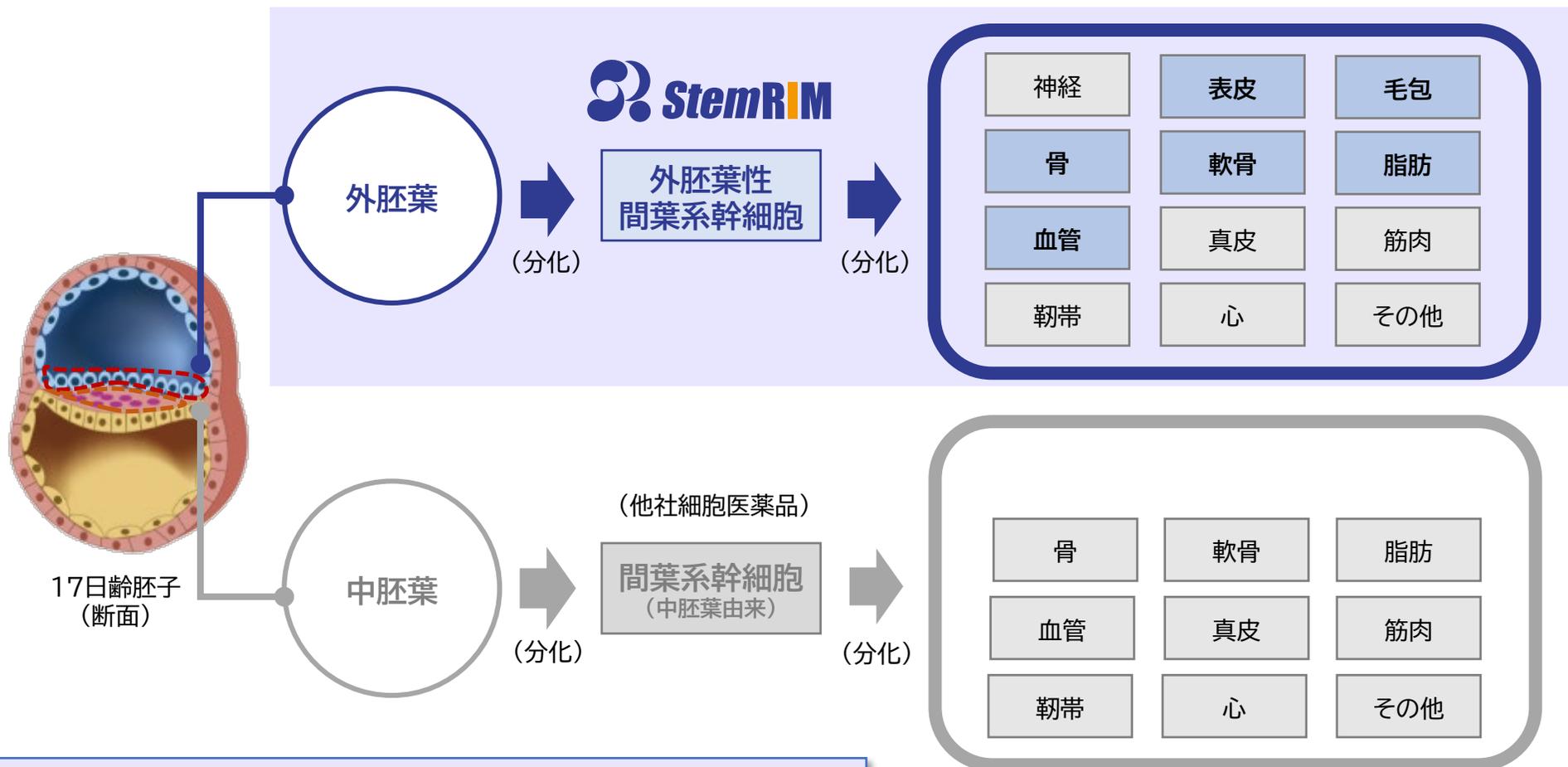
60



*CS9:カーネギーステージ9、CS9で原始的な表皮が生じると言われている

外胚葉性間葉系幹細胞の分化

再生誘導医薬が誘導する「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

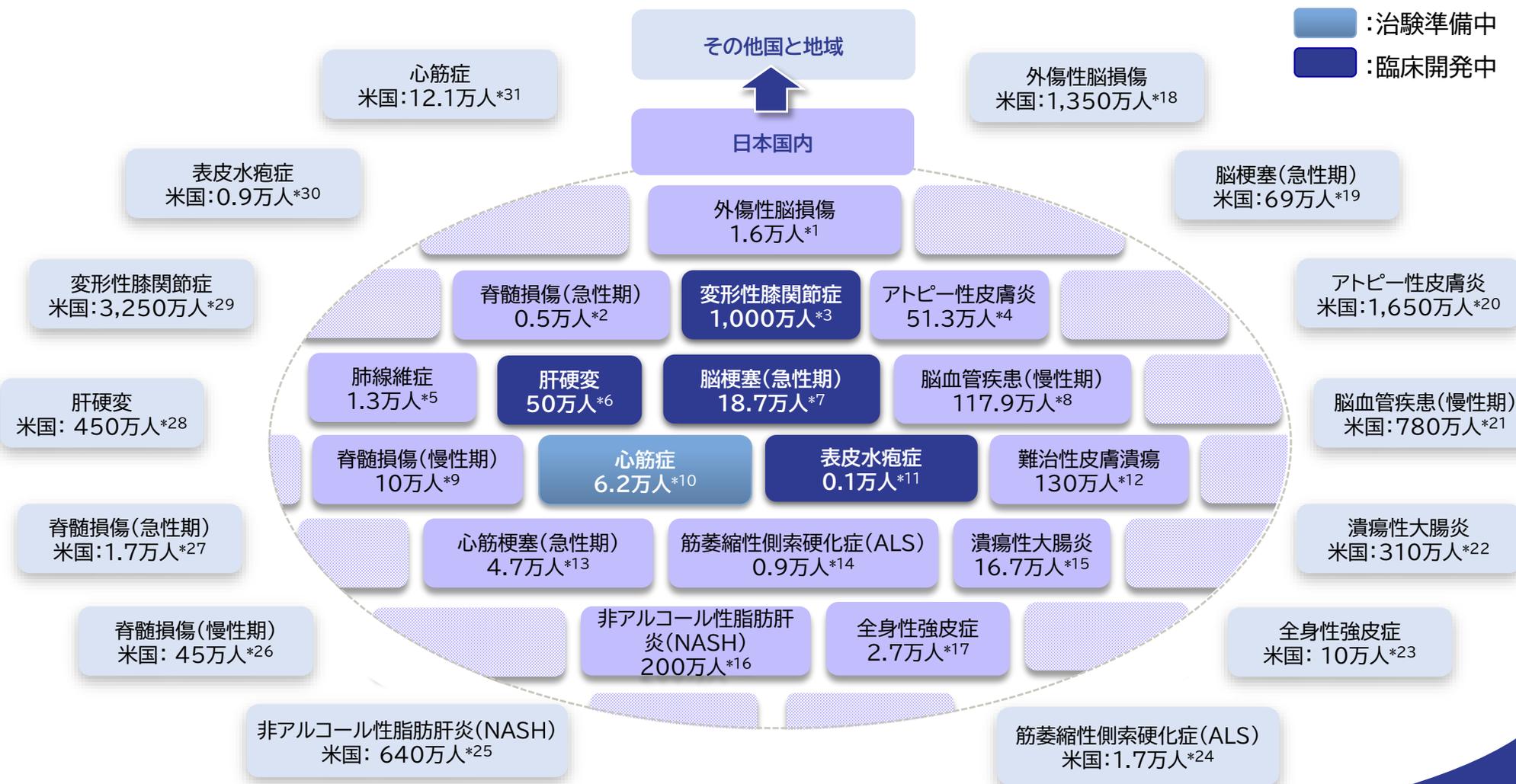


外胚葉性間葉系幹細胞は高い多能性を有しており、他社の細胞医薬品が用いている「中胚葉性由来の間葉系幹細胞」で分化できない**表皮、毛包、神経**への分化が発生的に可能であると考えられている。

■ 弊社と大阪大学の共同研究により分化が確認されている組織
 □ 発生的に分化すると考えられている組織

再生誘導医薬の対象疾患領域

再生誘導医薬が誘導する「外胚葉性間葉系幹細胞」での治療効果が見込める疾患領域がターゲット



<参考文献>

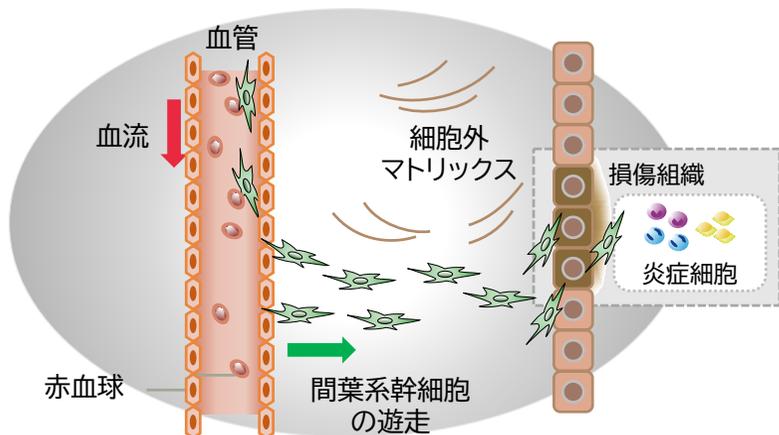
- *1:厚生労働省 平成29年患者調査「頭蓋内損傷」の患者数
- *2:日本パラプレジア医学会
- *3:厚生労働省 平成20年7月介護予防の推進に向けた運動器疾患対策について報告書
- *4:厚労省 平成29年患者調査「アトピー性皮膚炎」の患者数
- *5:特発性肺線維症の治療ガイドライン2017
- *6:平成27年度肝がん白書
- *7:脳卒中治療ガイドライン2009
- *8:日本生活習慣病予防協会
- *9:日本パラプレジア医学会
- *10:心筋症ガイドライン2018
- *11:難病情報センター
- *12:山口大学大学院医学系研究科器官病態外科学
- *13:厚労省 平成29年患者調査「急性心筋梗塞」
- *14:難病情報センター
- *15:難病情報センター
- *16:国立研究開発法人国立国際医療研究センター
- *17:厚生労働省 令和元年度衛生行政報告例
- *18:Brain Trauma Foundation, Summary health statistics for U.S. adults: National Health Interview Survey, 2010. National Center for Health Statistics. Vital Health Stat. 2012;10(252).
- *19:Centers for Disease Control and Prevention
- *20:National Eczema Association
- *21:Centers for Disease Control and Prevention
- *22:Centers for Disease Control and Prevention
- *23: Scleroderma Foundation
- *24:Centers for Disease Control and Prevention
- *25:Economic and Clinical Burden of Nonalcoholic Steatohepatitis in Patients With Type 2 Diabetes in the U.S. Diabetes Care 2020 Feb; 43(2): 283-289.
- *26: American Association of Neurological Surgeons
- *27: American Association of Neurological Surgeons
- *28:Centers for Disease Control and Prevention
- *29:Centers for Disease Control and Prevention
- *30:Stanford University School of Medicine
- *31:National Library of Medicine : Dilated cardiomyopathy

細胞治療との比較優位性(1)

再生誘導医薬が誘導する「外胚葉性間葉系幹細胞」での治療効果が見込める疾患領域がターゲット

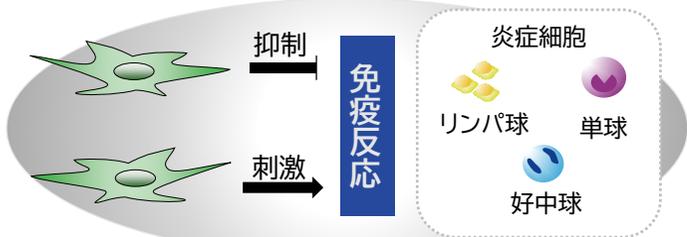
1.細胞遊走能力

間葉系幹細胞は血流を介し損傷組織まで遊走(移動)する。



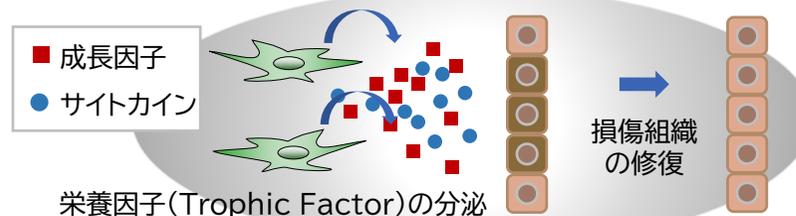
2.免疫調整能力

免疫反応を調節し、過剰な炎症による組織損傷の拡大を抑える。



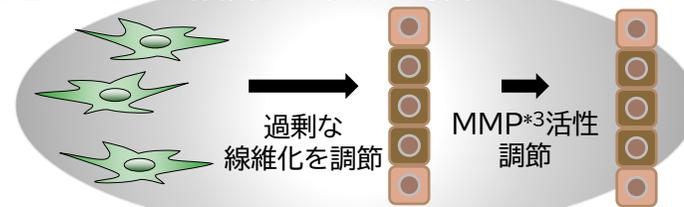
3.トロフィック能力

損傷組織の細胞に対し成長因子やサイトカイン*1を分泌することで、細胞の増殖や組織の修復を促進する。



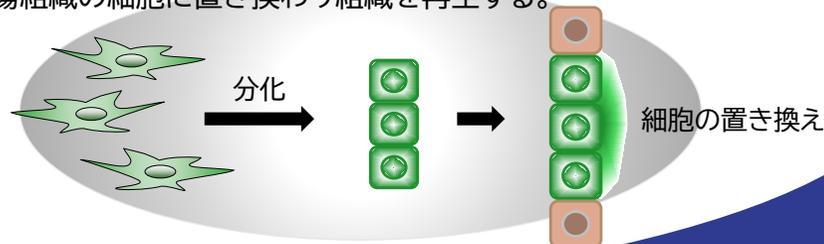
4.線維化調節能力

損傷組織の過剰な線維化*2を調節し、抑制する。



5.組織再生能力

間葉系幹細胞自身が様々な種類の細胞に分化することによって損傷組織の細胞に置き換わり組織を再生する。



*1:細胞から分泌される低分子のタンパク質で生理活性物質の総称。細胞間相互作用に関与し周囲の細胞に影響を与える。

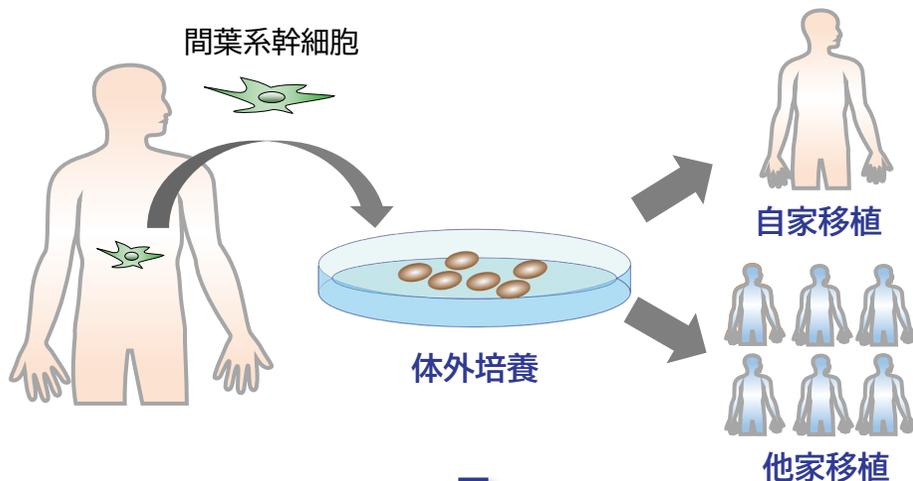
*2:組織を構成している結合組織と呼ばれる部分が異常増殖する現象のこと。

*3:マトリックスメタロプロテアーゼ(Matrix metalloproteinases)。サイトカインなどの生理活性ペプチドの活性化など様々な生理現象に関与しており、炎症や癌の進行などの病的過程にも関与している。

細胞治療との比較優位性(2)

間葉系幹細胞は体外培養を行う過程で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

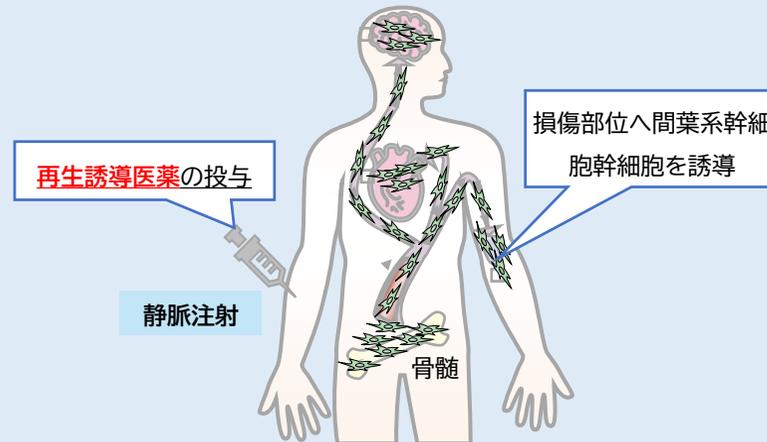


間葉系幹細胞は、生体外で培養される過程で
間葉系幹細胞としての機能を喪失

(出所)Stem Cell Research & Therapy2018,9:131



再生誘導医薬における間葉系幹細胞の誘導



間葉系幹細胞の**本来の機能を保持したまま**
損傷組織へ誘導することが可能



▶ 「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

細胞治療との比較優位性(3)

再生誘導医薬品は生きた細胞を直接使用せず、また工業生産可能な化合物医薬品であるため、従来の再生医療等製品と比較し、グローバル展開に有利

生きた細胞を用いる再生医療等製品のグローバル展開上の課題

製品輸送上の課題

- CPC*等の製造施設から凍結保存し、品質管理を徹底しながら輸送する必要

製造上の課題

- 細胞の性質に均一性を持たせたまま大量培養する必要
- 他家細胞の場合、コストを抑えつつ量産化する必要

再生誘導医薬においてはこれらの問題は発生しない

➡ 製品輸送上の優位性

➡ 製造上の優位性

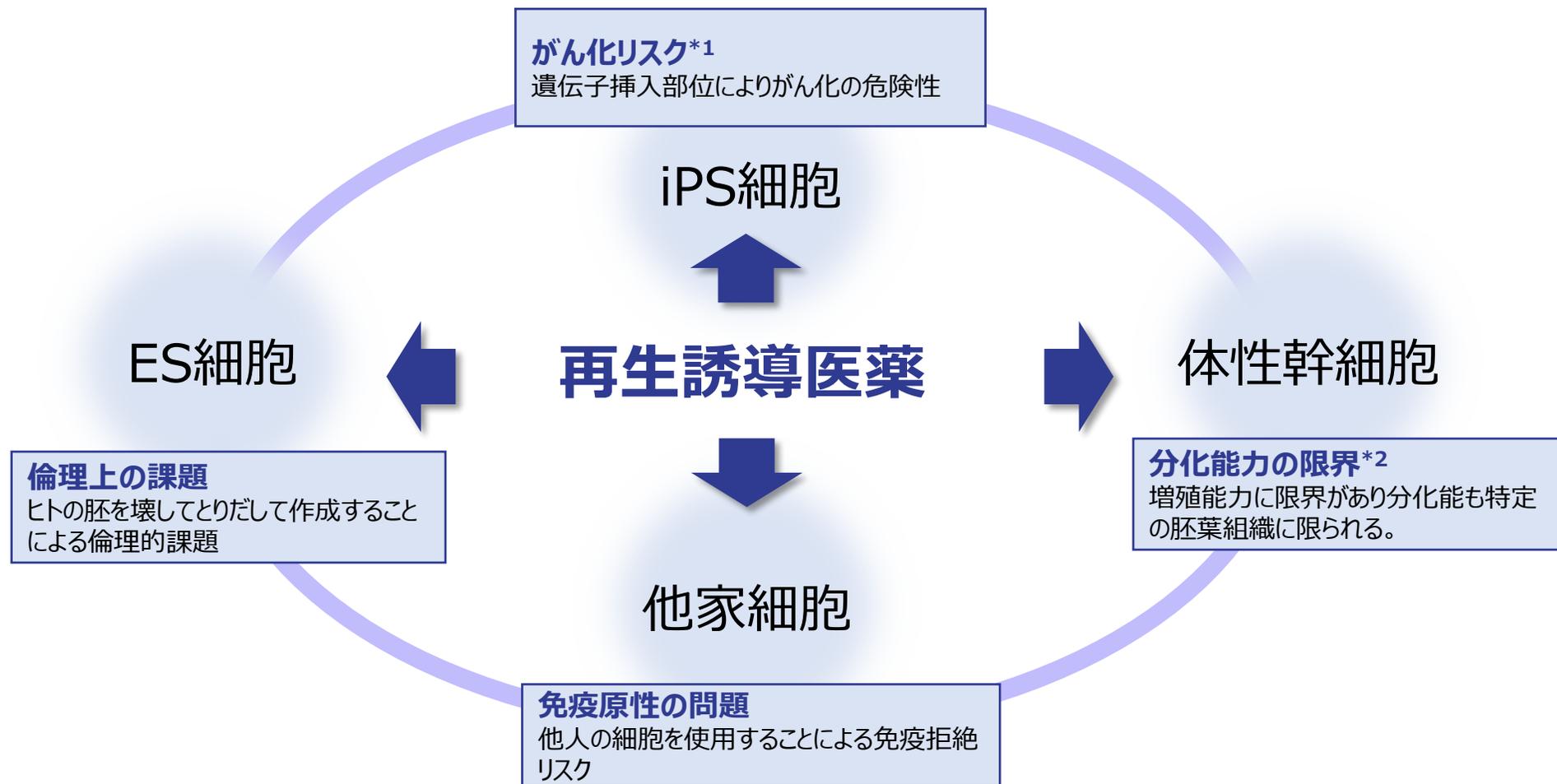
グローバルに再生誘導医薬を普及させていく

*CPC(Cell Processing Center):細胞の培養、加工などの処理を無菌的に行うために、厳密に管理された細胞処理施設

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	組織再生	 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
	作用機序	 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
	適応症	 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	侵襲性	 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	品質管理	 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	コスト	 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
	薬事規制	 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



*1:「iPS細胞の可能性と今後の課題」高橋政代氏, 2009年14巻8号 p. 8.8-8.14

*2:「生殖医療の未来を考える」阿久津英憲氏、林克彦氏、日比野由利氏, 2021.01.04 週刊医学界新聞(通常号):第3402号

再生誘導医薬の優位性まとめ(3)

再生誘導技術基盤は細胞治療領域におけるゲームチェンジャーを目指す



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

4 事業領域およびパイプラインの進捗状況

開発パイプライン



開発コード	内容	適応症	開発主体	臨床試験開発 ステータス	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	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	塩野義製薬	追加第II相試験 実施中					*1	塩野義製薬 (S-005151)
		脳梗塞 (急性期)	塩野義製薬	グローバル第III相試験 準備中						
		心筋症 (虚血性心筋症・ 拡張型心筋症)	大阪大学	第II相試験 準備中						
		変形性膝関節症	弘前大学	第II相試験 実施中						
		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)	非臨床					-
	-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)	非臨床					-
	-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)	非臨床					-
PJ3	-01	生体由来再生誘導ペプチド	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	非臨床					-
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)	非臨床	ND *2				-
PJ5	-01	幹細胞遺伝子治療	表皮水疱症	自社 (提携予定)	非臨床	第I/II相試験		なし	-	

*1: 対象となる栄養障害型表皮水疱症の患者数は、全国に400*3名前後と想定されており、大規模な第III相試験を計画することが困難です。

また、栄養障害型表皮水疱症は、希少難治性疾患であり現在有効な治療法がないため、追加第II相試験の結果を踏まえ、医薬品の承認申請を行うことを見込んでおります。

*2: 第I相試験以降は実施しない方向で調整中ですが、未確定のためNDと記載しております。

*3: (出所)難病情報センター、小児慢性特定疾病情報センター、厚生労働省 令和2年度「表皮水疱症の全国疫学調査」より当社推定

進捗状況



(更新情報は赤字で表記)

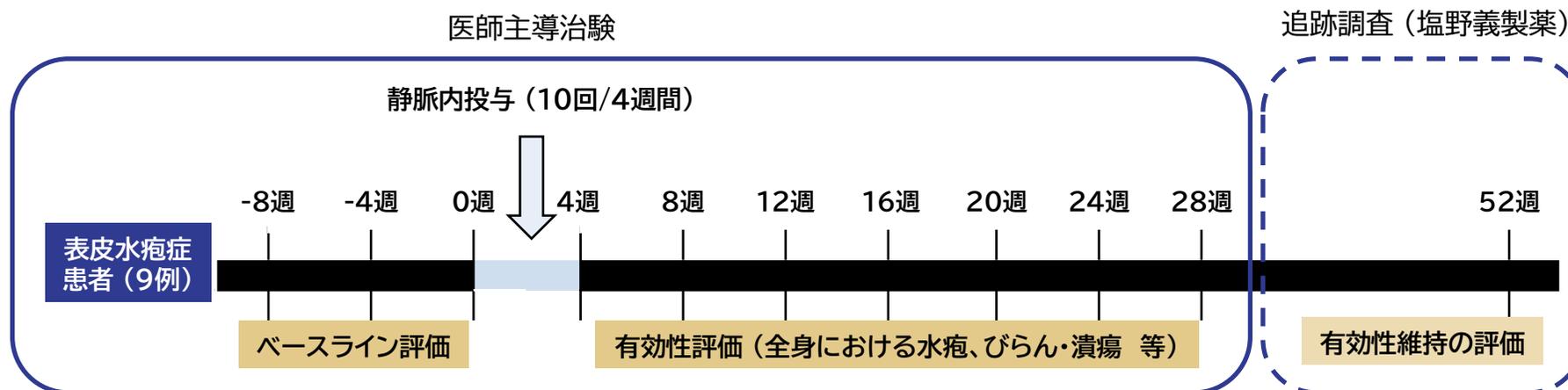
開発コード	内容	適応症	進捗状況 (2022年10月現在)	(参考)2021年10月26日開示 「事業計画及び成長可能性に関する事項」 より
PJ1	HMGB1の骨髄間葉系幹細胞 動員活性ドメインペプチド (HMGB1ペプチド) 一般名:レダセムチド	表皮水疱症	追加第Ⅱ相試験実施中 (2022年7月～)	第Ⅱ相試験終了(2020年4月) ⇒追加試験実施予定
		脳梗塞 (急性期)	第Ⅱ相試験の良好な結果を受け グローバル第Ⅲ相試験の準備中	第Ⅱ相試験実施中 ⇒2021年10月～12月に結果速報予定
		心筋症 (虚血性心筋症・ 拡張型心筋症)	第Ⅱ相試験準備中	第Ⅱ相試験準備中
		変形性膝関節症	第Ⅱ相試験実施中 (2022年12月31日終了予定)	第Ⅱ相試験実施中 (2022年12月31日終了予定)
		慢性肝疾患	第Ⅱ相試験実施中 (2023年2月28日終了予定)	第Ⅱ相試験実施中 (2023年2月28日終了予定)
PJ2	RIM3	潰瘍性大腸炎 アトピー性皮膚炎	非臨床	非臨床
	再生誘導医薬新規ペプチドA	複数の 組織損傷疾患	非臨床	非臨床
	再生誘導医薬新規ペプチドB	複数の 組織損傷疾患	非臨床	非臨床
PJ3	生体由来再生誘導ペプチド	複数の 組織損傷疾患	非臨床	非臨床
PJ4	治療用自己細胞採取デバイス	難治性潰瘍骨 軟骨性疾患	非臨床	非臨床
PJ5	幹細胞遺伝子治療	表皮水疱症	非臨床	非臨床

PJ1-01: 表皮水疱症治療薬としてのレダセムチド



第Ⅱ相臨床試験(終了済)

治験概要	
目的	栄養障害型表皮水疱症患者に対するレダセムチドの有効性・安全性の検討
対象	全身における水疱、びらん、潰瘍の合計面積が20cm ² 以上の患者9例(男女)
治験デザイン	非ランダム化、オープンラベル
投与群、症例数	レダセムチド群: 9例
投与方法、期間	1mg/kg, 30分間静脈内点滴投与、10回/4週間 [投与1週目: 4日間、投与2~4週目: 2日間/週 (3~4日に1回)]
主要評価項目	全身における水疱、びらん・潰瘍の合計面積のベースラインからの変化率
治験期間	2018年1月(治験届)~2020年3月
実施機関	大阪大学医学部附属病院 皮膚科

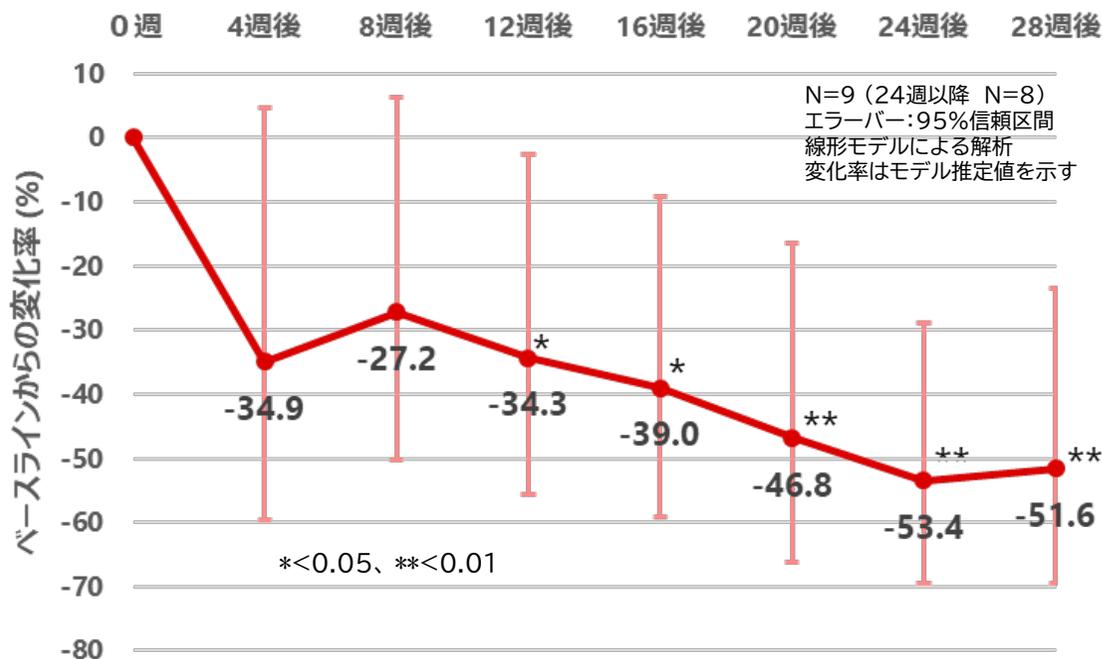


PJ1-01:表皮水疱症第II相試験の結果

第II相臨床試験(終了済)

全9例の解析

全身における水疱、びらん・潰瘍合計面積の変化率 (%) の推移



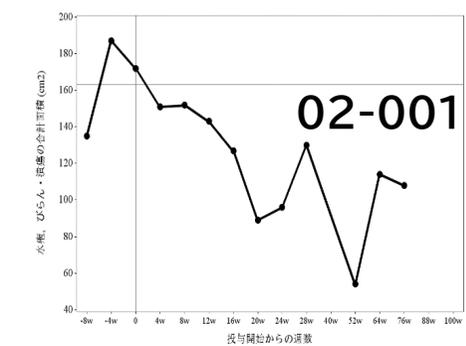
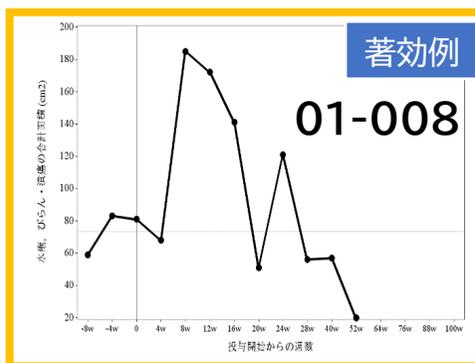
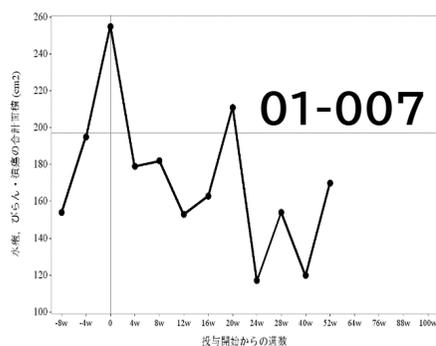
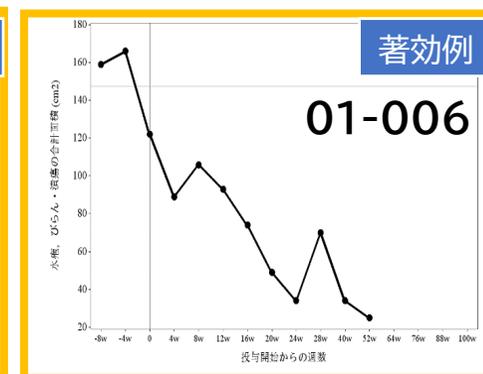
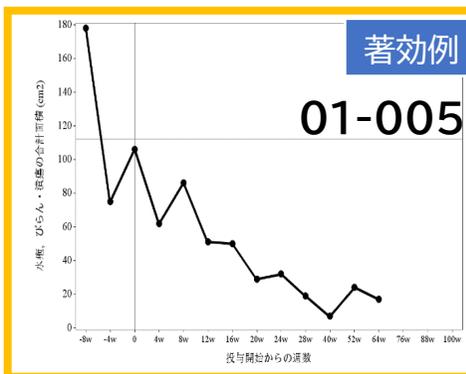
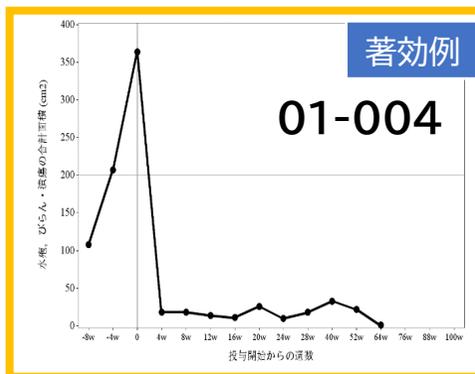
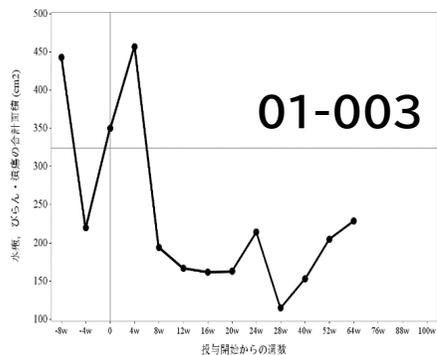
統計学的有意な改善
(投与12週目以降)

投与部位に薬効が限定される従来の再生医療と異なり、
本剤の組織再生誘導は全身の病変に対する薬効を発揮

PJ1-01:表皮水疱症 著効4例の臨床経過(1)

第II相臨床試験(終了済)

レダセムチド:全身病変面積 (cm²) 有効7例の推移



- ✓ 本剤の投与をうけた9例中7例で有効性を確認
- ✓ 有効7例のうち、著効4例の臨床経過写真を次頁に記載

PJ1-01:表皮水疱症 著効4例の臨床経過(2)

第II相臨床試験(終了済)

肘*難治性癬瘡の著明改善 (症例 01-004)				背部難治性癬瘡の著明改善 (症例 01-005)			
投与開始日		投与終了24週後		投与開始日		投与終了24週後	
	癬瘡局面上に水疱、びらん		癬瘡病変が消失 水疱、びらんも消失		癬瘡局面上にびらん、痂皮		長期間続く癬瘡、びらん、痂皮が著明改善
下腿難治性潰瘍の著明改善 (症例 01-006)				下腿難治性癬瘡の著明改善 (症例 01-008)			
投与開始日		投与終了24週後		投与開始日		投与開始75週後**	
	癬瘡局面上に難治性潰瘍 (長年閉鎖せず)		癬瘡の軽快、難治性潰瘍の著明上皮化		炎症性癬瘡上に皮膚潰瘍		癬瘡の著明改善、潰瘍も消失

* 日常的に外力が加わるため特に難治とされる部位

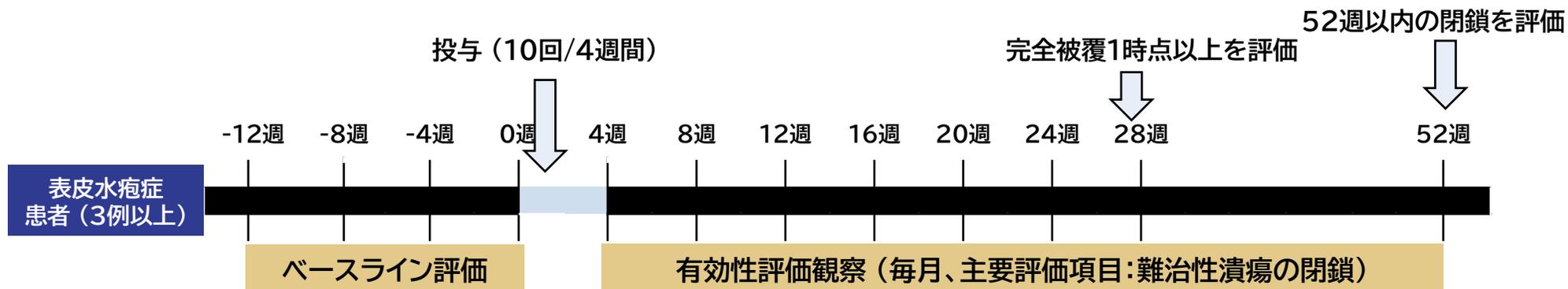
** 第120回 日本皮膚科学会総会 教育講演 玉井教授発表資料

PJ1-01:表皮水疱症 追加第II相臨床試験



追加第II相臨床試験

治験概要	
目的	難治性潰瘍を有する栄養障害型表皮水疱症患者に対するレダセムチドの有効性・安全性の評価
治験デザイン	多施設共同、非盲検、非対象
投与群、症例数	レダセムチド(1.0mg/kg)群:3例以上
投与方法、期間	1日1回30分間静脈内投与、10回/4週間 [投与1週目:4日間、投与2~4週目:2日間/週(3~4日に1回)]
主要評価項目	難治性潰瘍の閉鎖



2022年7月 治験届提出済 ~ 2023年3月 第一例薬剤投与予定

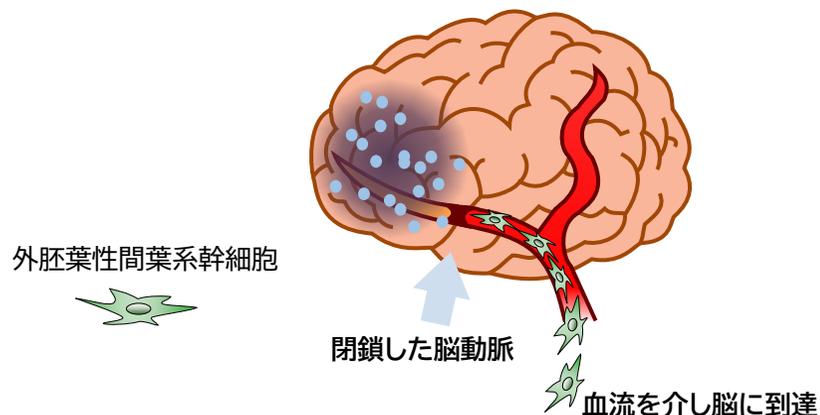
(出所)
 ・臨床研究等提出・公開システム(jCRT) jRCT2031220378
 ・2022年10月12日付 塩野義製薬「SHIONOGI R&D Day 2022」説明資料

PJ1-02:急性期脳梗塞治療薬としてのレダセムチド



従来の治療法と比較し、時間的制約が緩和された脳梗塞治療薬を開発中

急性期脳梗塞



脳梗塞の市場規模(国内)

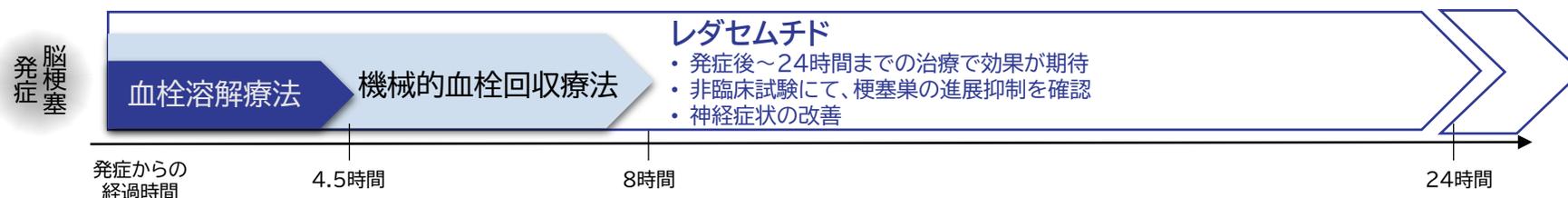
約18.7万人



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

作用機序(急性期・亜急性期)

- ✓ 炎症の抑制
- ✓ 血管新生の促進、残存神経細胞への栄養因子分泌
- ✓ 線維化抑制による脳梗塞範囲の拡大抑制



・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

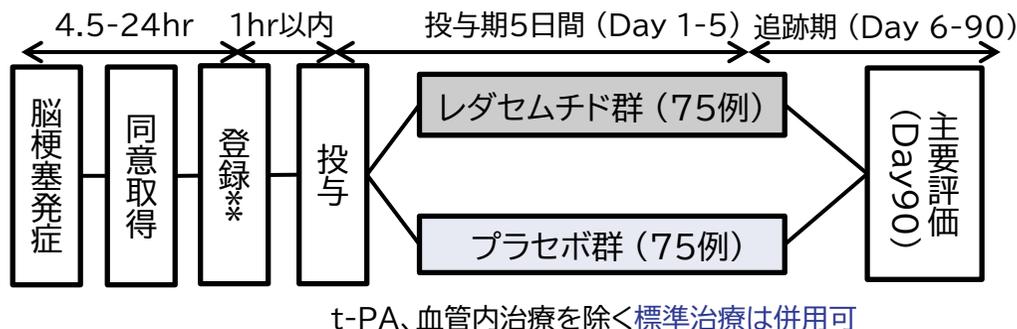
一般的な治療法と比較しより時間的制約が緩和されているレダセムチドは、急性期におけるt-PAとの併用、t-PA適応外の第一選択、亜急性期における単独投与が期待される

現在の進捗状況

グローバル第Ⅲ相試験準備中

第II相臨床試験(終了済)

治験概要	
目的	急性期脳梗塞患者に対するレダセムチドの有効性・安全性の検討
対象	発症から4.5-24時間以内に登録できる患者(60歳以上85歳未満の男女)
治験デザイン	多施設共同、無作為化、プラセボ対照、二重盲検
投与群、症例数	レダセムチド(1.5 mg/kg)群:75例、プラセボ群:75例 合計150例
投与方法、期間	1日1回90分間静脈内投与、5日間
主要評価項目	投与90日後のmodified Rankin Scale (mRS*)
治験依頼者	塩野義製薬



2021年12月13日プレスリリース

有効性: 主要評価項目を達成
安全性: 有害事象の発現はプラセボと同程度

2022年10月12日プレスリリース

投与開始90日後のmRSが2以下になった割合についてプラセボ投与群との比較を開示
(詳細は次項に記載)

* 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

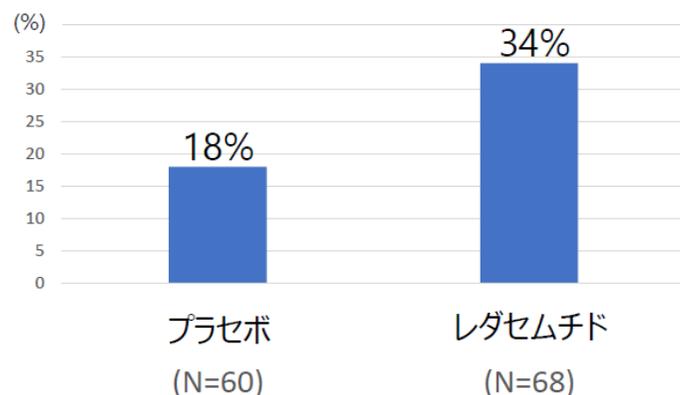
**割付因子: NIHSS、脳梗塞発症から登録までの時間

(出所) JAPIC Clinical Trials Information

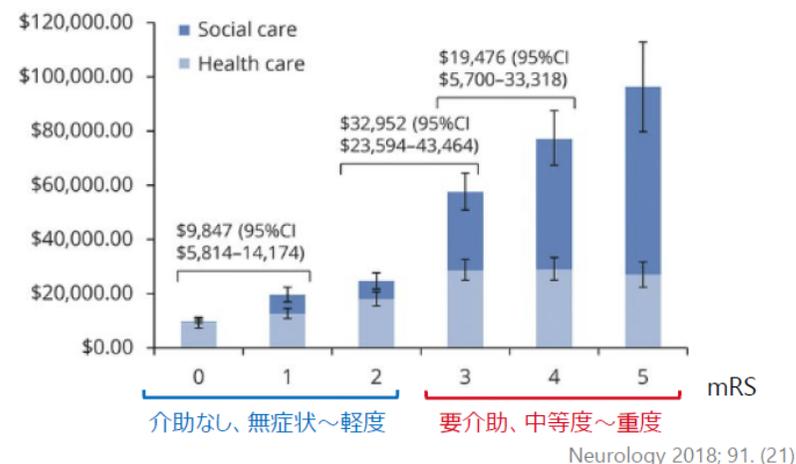
PJ1-02:急性期脳梗塞 第II相治験結果

第II相臨床試験(終了済)

5日間投与完了の翌日に介助が必要な状態の患者が
投与開始後90日に介助不要 (mRS* ≤ 2) になった割合



脳梗塞の発症3か月時mRSと5年間の社会・医療コスト (1人当たり)



介助が必要な状態 (mRS ≥ 3) から介助不要 (mRS ≤ 2) になった割合について、プラセボ投与群では18%であることにに対し、レダセムチド投与群では34%となる。



急性期脳梗塞患者様に対するレダセムチドの有効性が示唆

要介助の脳梗塞患者において、介助不要となり社会的自立が可能なレベルにまで症状が改善することは社会的意義が大きく、レダセムチドの投与による急性期脳梗塞患者のQOL向上が期待される。

PJ1-02:急性期脳梗塞 グローバル第Ⅲ相試験プロトコル(案)

治験概要	
目的	急性期脳梗塞患者に対するレダセムチドの有効性の検証
対象	<ul style="list-style-type: none"> ・18歳以上で発症から25時間以内に投与可能 ・発症前のmRS*が0又は1(まったく症候がない、症候はあっても明らかな障害はない) ・血管内再開通療法(t-PA治療、血管内治療)ができない
治験デザイン	多施設共同、無作為化、プラセボ対照、二重盲検
投与群、症例数	レダセムチド (1.5 mg/kg) 群:678例、プラセボ群:678例 合計1,356例
投与方法、期間	1日1回90分間静脈内投与、5日間
主要評価項目	投与90日後のmRS
副次評価項目	NIHSS**, Barthel Index***、mRS(Day 365)、退院までの日数、QOL評価
実施国	日本、欧州、北米、中国 等



*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

**NIHSS(National Institutes of Health Stroke Scale):脳卒中神経学的重症度の評価尺度(合計42点、点数が高いほど重症であることを表す)

***Barthel Index(BI):食事、入浴、トイレ等の日常生活動作 の評価尺度(合計100点、点数が高いほど自立していることを表し完全自立の目安は95点)

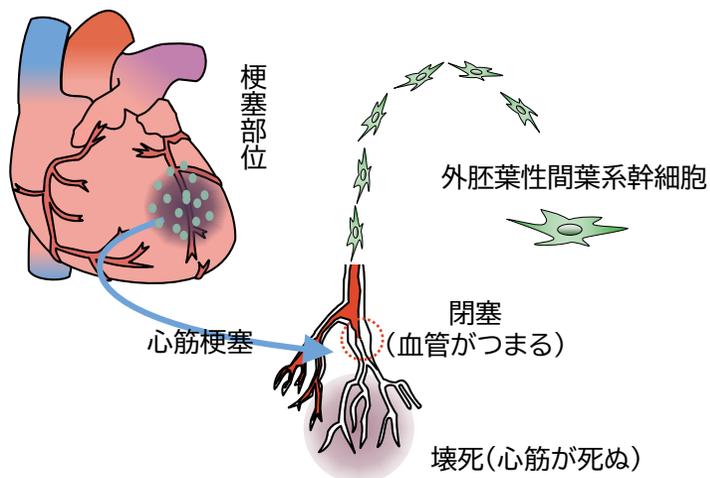
PJ1-03:心筋症治療薬としてのレダセムチド



間葉系幹細胞の線維化抑制機能による幅広い心疾患に対する治療薬を開発中

心筋症(虚血性心筋症、拡張型心筋症)

(例)虚血性心筋症(陳旧性心筋梗塞etc.)



作用機序

- ✓ 心筋線維化の抑制効果を確認
- ✓ VEGFを分泌、梗塞部位の血管新生を促進、予後改善
- ✓ 残存する幹細胞の活性化による心筋細胞再生
- ✓ 心筋梗塞後の心室リモデリングの抑制

幅広い心疾患への適応が期待される

現在の進捗状況

第II相臨床試験準備中

市場規模(国内)

虚血性心疾患:約65.2万人
拡張型心筋症:約6.2万人

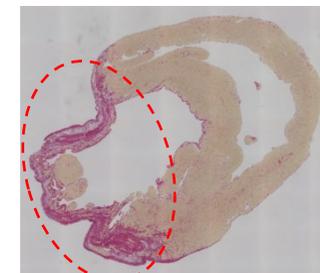
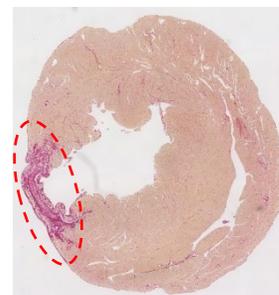
※厚生労働省「令和2年(2020)患者調査の概況」
ならびに「心筋症ガイドライン2018」より



ラット虚血性心筋症(陳旧性心筋梗塞)モデルに対する
レダセムチドの線維化抑制効果(線維化領域が減少)

レダセムチド

コントロール



(出所)当社と大阪大学との共同研究

(Sirius red染色)

梗塞巣

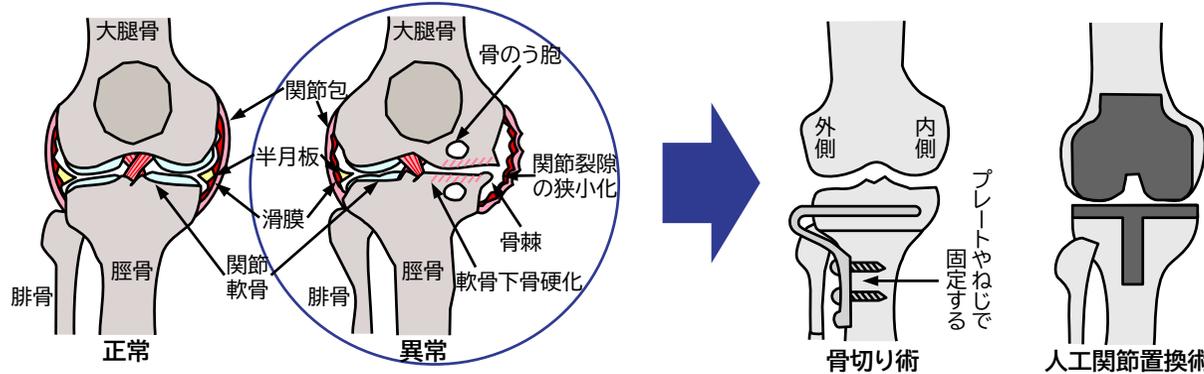
虚血性心筋症発症後のレダセムチド投与により、
心筋の線維化抑制を確認

PJ1-04:変形性膝関節症治療薬としてのレダセムチド



外科的治療法によらない変形性膝関節症治療薬を開発中

変形性膝関節症



市場規模(国内)

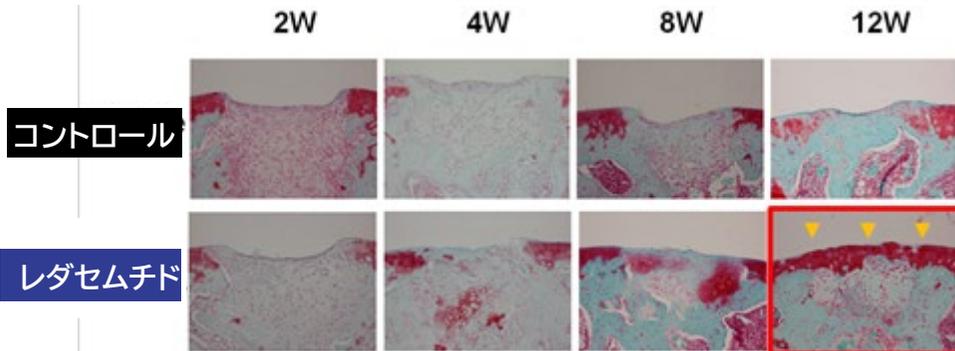
自覚症状を有する患者数:約800万人
潜在患者数:約2,500万人

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

作用機序

✓ 関節の軟骨組織の再生

マウスモデルにてレダセムチドによる軟骨再生を確認



(出所)当社と大阪大学との共同研究

サフラニン-O染色

レダセムチド投与により血中誘導された骨髄由来間葉系幹細胞により軟骨が再生(▼で示した赤く染色された部分)

従来の治療法

- ・軽度では鎮痛薬(内服・外用)や膝関節内へのヒアルロン酸注射が処方される。
- ・根治療法は無く、重度ではQOLの低下が著しく、外科的治療法が必要(人工膝関節置換術、高位脛骨骨切り術)

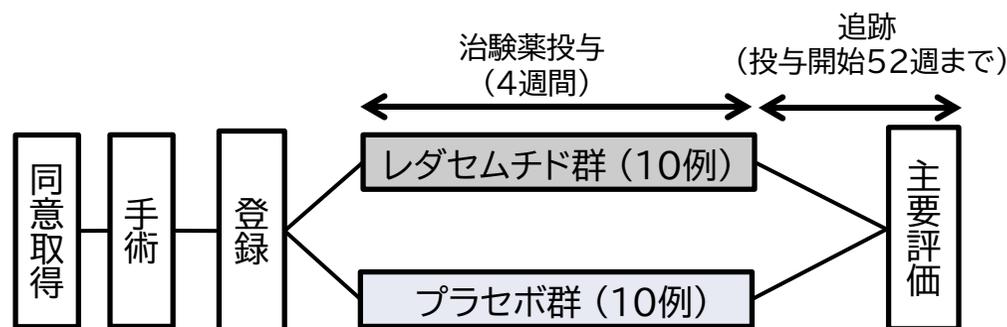
外科手術によらない、医薬品の投与による変形性膝関節症の根治療法が期待される

現在の進捗状況

第Ⅱ相臨床試験実施中

PJ1-04:変形性膝関節症 第Ⅱ相治験プロトコル

治験概要	
目的	変形性膝関節症に対する有効性、安全性の検討
対象、症例数	高位脛骨骨切り術*及び鏡視下マイクロフラクチャー**を実施した変形性膝関節症患者 (20歳以上70歳未満の男女)
治験デザイン	単一施設、無作為化、プラセボ対照、二重盲検
投与群、症例数	レダセムチド(1.5 mg/kg) 群:10例 プラセボ群:10例 合計20例
投与方法	90分間点滴静注、8回投与[2日間/週 (3-4日に1回)×4週間]
評価項目	形態学的評価(MRI撮像などによる評価)及び機能評価(KOOS***などの各評価指標による評価)
実施機関	弘前大学医学部附属病院 整形外科



第Ⅱ相試験進捗状況

2021年 2月 第一例投与
 2021年 11月 患者組み入れ完了
 2022年 12月 試験終了(予定)

*高位脛骨骨切り術: O脚をX脚に矯正することにより荷重が外側にかかるようにし、内側の負担を軽減することにより、膝痛を軽減する手術
 **鏡視下マイクロフラクチャー: 軟骨損傷部の母床の軟骨下骨に小さな孔をあけることで、骨髓から幹細胞という関節軟骨に分化する可能性のある細胞の損傷部への流出を促し、損傷部を修復させる治療法
 ***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

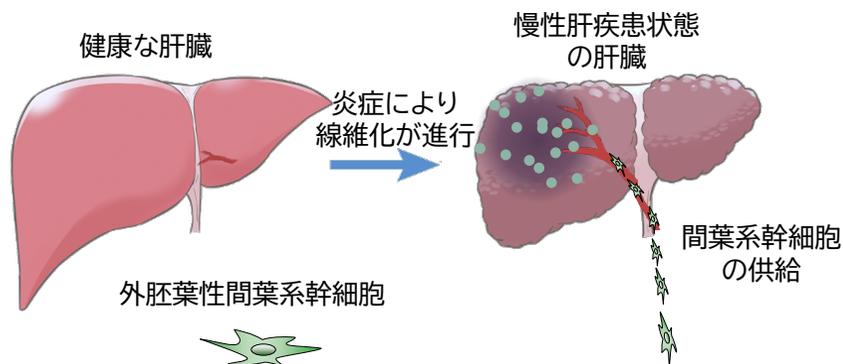
(出所)JRCT

PJ1-05:慢性肝疾患治療薬としてのレダセムチド



線維化抑制機能による慢性肝疾患に対する治療薬を開発中

慢性肝疾患



市場規模(国内)

約40~50万人

※令和4年がん白書より



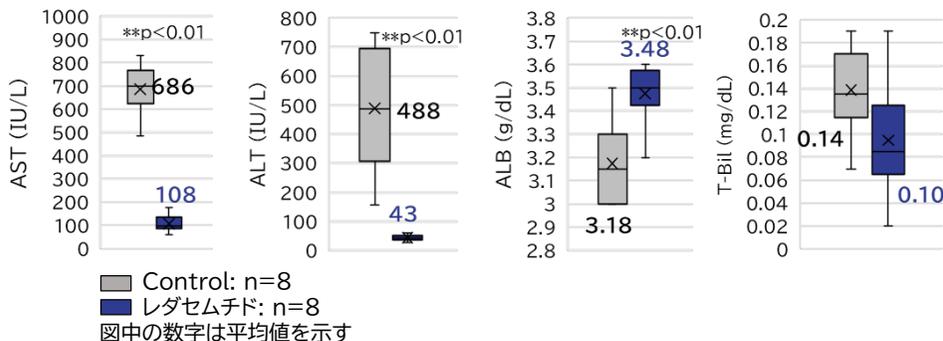
作用機序

- ✓ 高い抗炎症作用を発揮
- ✓ 肝組織の線維化を改善
- ✓ 幹細胞の活性化による肝臓機能の再生

従来の治療法

- ・完治が期待できる治療法は確立されていない。
- ・線維化の進行した肝硬変に対しては肝移植が有効だが、臓器のドナー不足の懸念がある。

肝硬変マウスモデルにてレダセムチドによる血清中肝障害指標 (AST, ALT), 肝機能指標 (ALB, T-Bil) の改善を確認



工業的に生産可能なレダセムチドは、医薬品の投与による慢性肝疾患の根本治療が期待される

現在の進捗状況

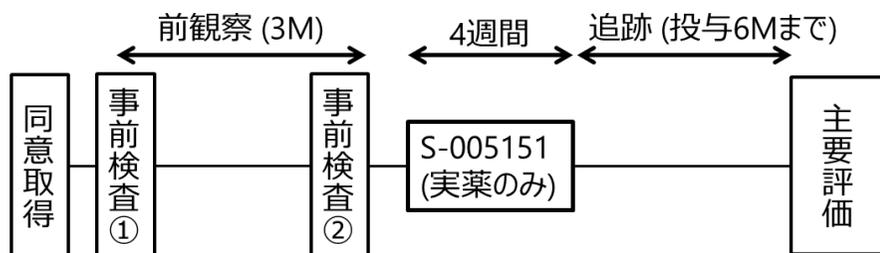
第Ⅱ相臨床試験実施中

(出所)Nojiri S, Tsuchiya A, Tamai K, Terai S et al. Inflamm Regen. 2021

PJ1-05:慢性肝疾患 第II相治験プロトコル



治験概要	
目的	慢性肝疾患患者に対する有効性、安全性の検討
治験デザイン	単一施設、非無作為化、非対照、オープンラベル
対象	MRエラストグラフィ*による肝硬度検査結果が4kPa以上の慢性肝疾患患者10例 (20歳以上80歳未満の男女)
投与方法、症例数	レダセムチド1.5 mg/kg、90分間点滴静注 <ul style="list-style-type: none"> ・ コホートA(5例):4回投与 [1日/週 ×4週間] ・ コホートB(5例):7回投与 [1週目:4日間連続、1日/週×3週間]
評価項目	肝硬度の変化率、超音波エラストグラフィによる肝硬度の変化率及び Child-Pugh**スコアの変化率等
実施機関	新潟大学医歯学総合病院 消化器内科



第II相試験進捗状況

2021年 3月 第一例投与
 2022年 6月 患者組み入れ完了
 2023年 2月 試験終了(予定)

*MRエラストグラフィ:肝臓の線維化を定量評価できる検査の一つ

**Child-Pughスコア:主に肝硬変等の慢性肝疾患患者の肝予備能を評価するための評価方法。脳症、腹水、血清ビリルビン値、血清アルブミン値、プロトロンビン活性値を用いて肝障害度をスコア化し、A~Cの3段階で分類する

PJ2 第2世代再生誘導医薬(RIM3)



当社の確立したスクリーニング系により、再生誘導の効果を有する化合物を複数同定済

大阪大学及び当社共同で開発した
新規再生誘導候補物質
スクリーニング系

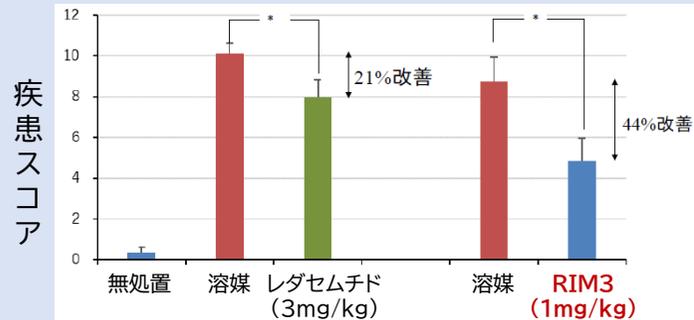


静脈内投与により末梢血中の間葉系幹細胞を増加させる作用を有している
再生誘導医薬候補ペプチドを10種以上同定

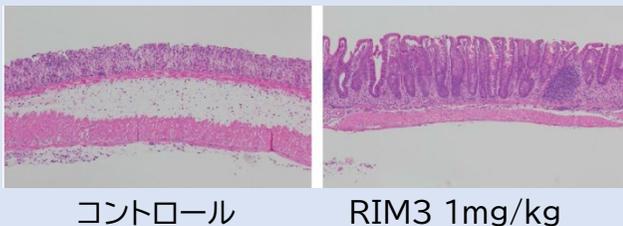
潰瘍性大腸炎

RIM3に関し潰瘍性大腸炎モデルマウスにおいて、コントロール群に対し大幅な大腸の損傷改善を確認。
疾患スコアにおいてはレダセムチド以上の改善が認められており、優れた治療効果を確認。

デキストラン硫酸ナトリウム誘発マウス潰瘍性大腸炎
に対するRIM3とレダセムチドの比較、RIM3の作用



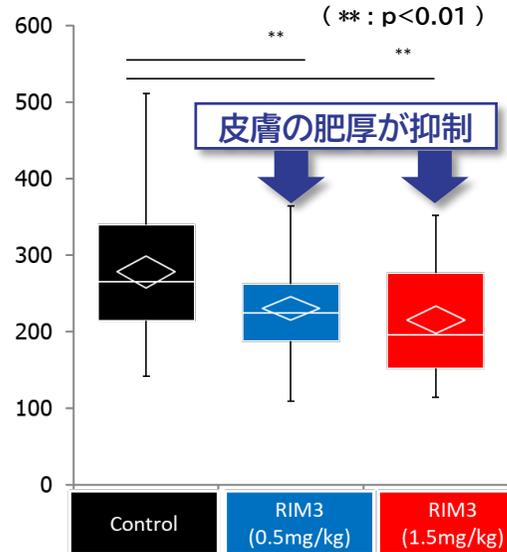
10日目の大腸粘膜の病理画像(HE染色)



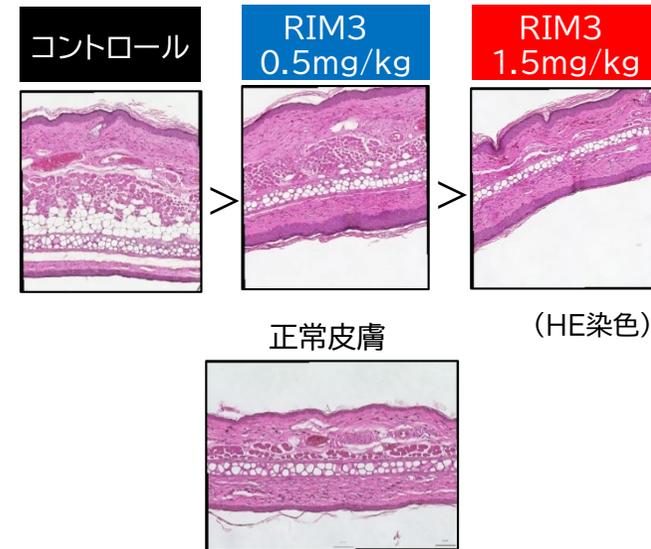
アトピー性皮膚炎

アトピー性皮膚炎マウスモデルでは、RIM3投与により皮膚病理組織における炎症所見の改善と、皮膚の肥厚の抑制が確認され症状の改善が認められた。

皮膚病理組織



皮膚の厚さ

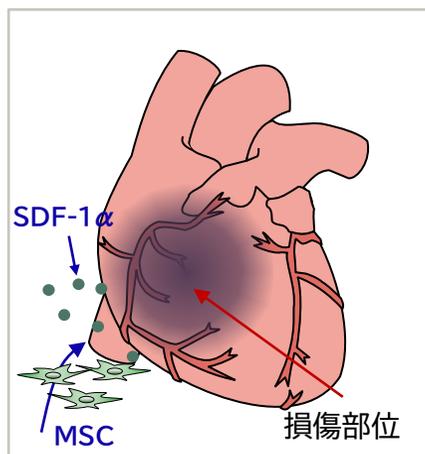


用量依存的に病態の改善が見られ、
1.5mg/kgでは著明な改善が認められた

PJ3 生体由来再生誘導ペプチドの開発

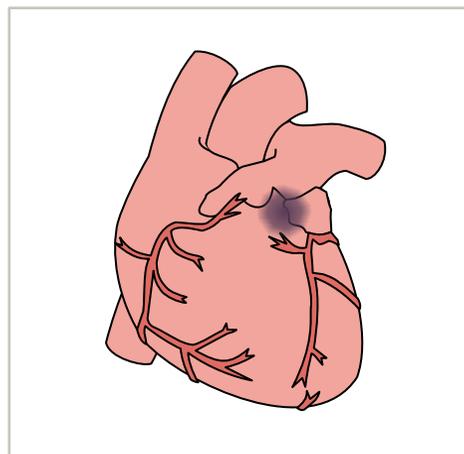
損傷部位に間葉系幹細胞を集積させるペプチド製剤を開発中

損傷部位が大きい場合



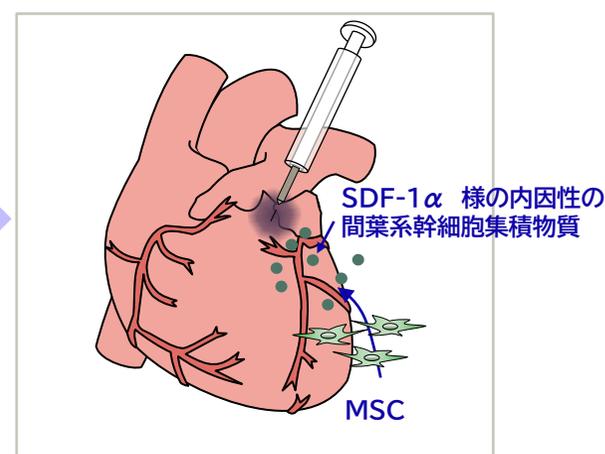
- 損傷部位が大きい場合、血中に動員された間葉系幹細胞を集積させるSDF1-aが放出されている
- =PJ1,2のような作用機序が有効

損傷部位が小さい場合
or 時間が経過している場合



- 損傷部位が小さい等、SDF1-aが放出されない場合、効率よく間葉系幹細胞を集積できない
- =再生誘導医薬の効果を最大限に引き出す併用療法が有効

損傷部位への局所投与により、
効率よく生体内間葉系幹細胞を
集積させる

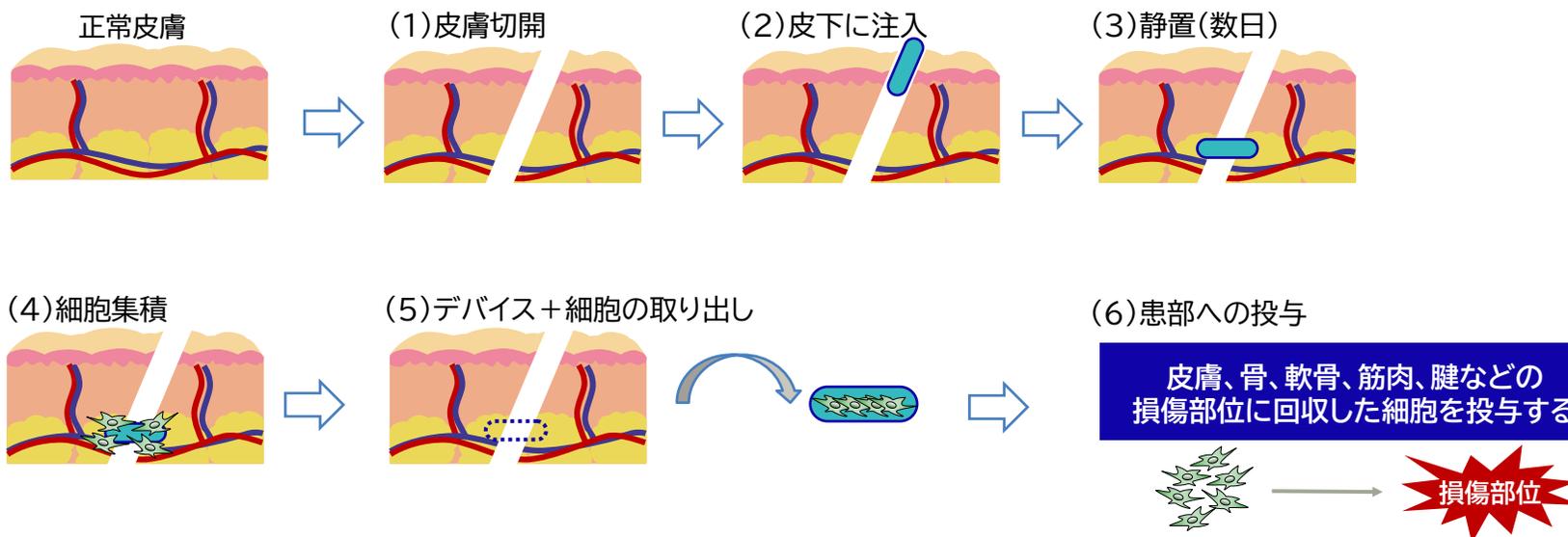


- 局所投与もしくは静脈注射により、生体内の間葉系幹細胞を効率よく幹部に集積させる作用
- =間葉系幹細胞の損傷部位修復効果を最大限に引き出す

- ✓ これまで候補ペプチドを複数同定済み
- ✓ 動物実験で良好な成績を確認している
- ✓ 現在、複数のモデル動物実験により、最適な適応症の選定を進めている

PJ4 治療用自己細胞採取デバイス(1)

生体内で動員される間葉系幹細胞を収集するデバイスの開発中



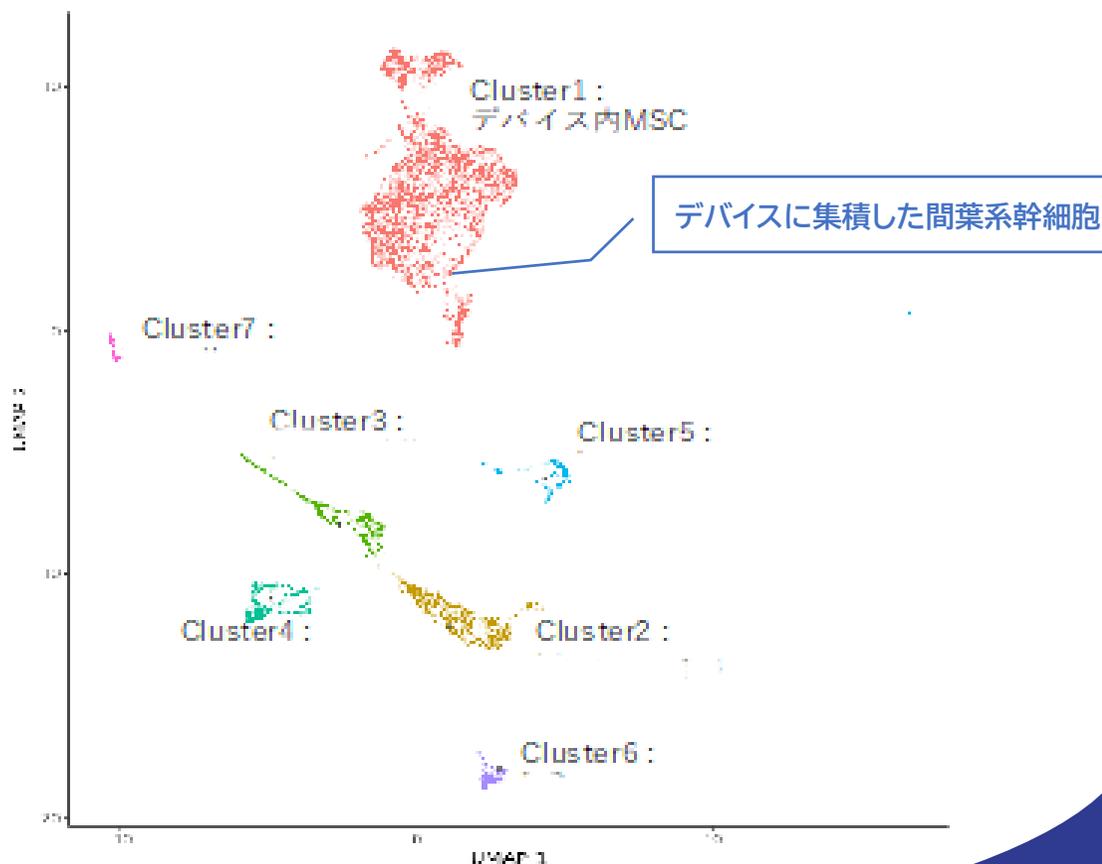
- ✓ これまでの動物実験で当デバイスが良好な幹細胞回収能力を有することを確認
- ✓ 数種類の疾患モデル動物による薬効試験によって、最適な適応症の選定
- ✓ 臨床試験の開始までに必要となる非臨床試験を実施

PJ4 治療用自己細胞採取デバイス(2)

ラットモデルにおいて間葉系幹細胞の採取を確認

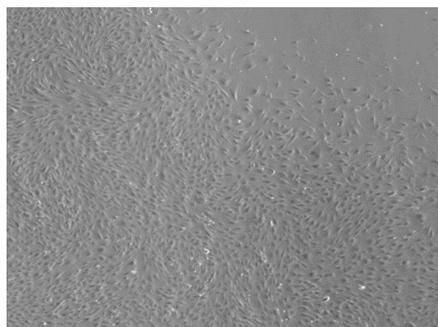


デバイスに集積した細胞に対する
次世代シーケンサーによるシングルセルトランスクリプトーム解析



細胞採取後のデバイス

集積した細胞の塊



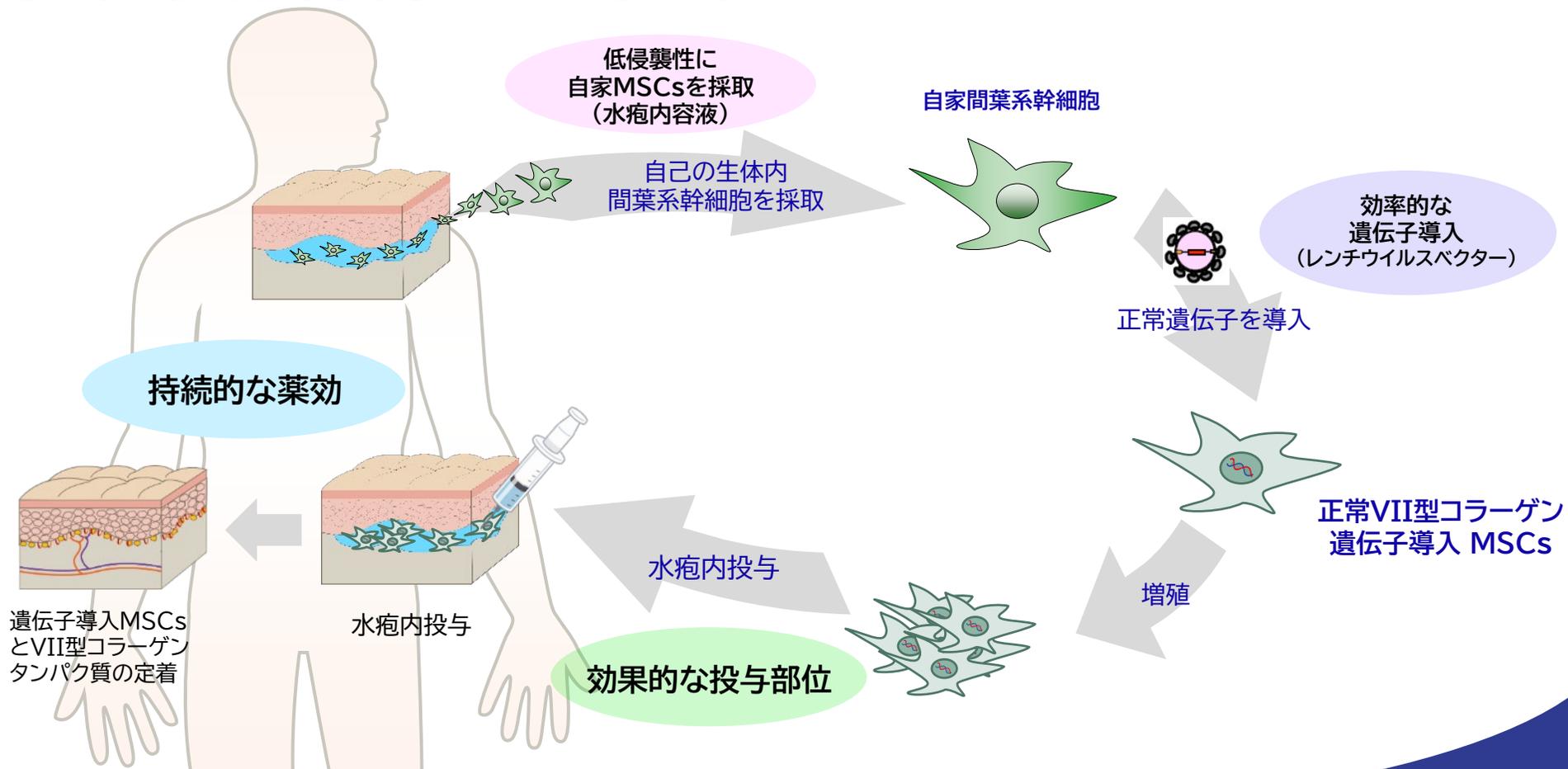
集積細胞の培養によるMSC様細胞の存在確認

PJ5 表皮水疱症 幹細胞遺伝子治療(1)

幹細胞遺伝子治療によって難治性遺伝病の根治を目指す

本治療法のコンセプト

自家間葉系幹細胞(MSCs)に正常なVII型コラーゲン遺伝子を導入し、遺伝子導入細胞を患部の水疱へ投与する ex vivo* 遺伝子治療



*ex vivo:生物から細胞や組織を取り出して治療や処置をし、その後、もとの生物に戻すこと

PJ5 表皮水疱症 幹細胞遺伝子治療(2)



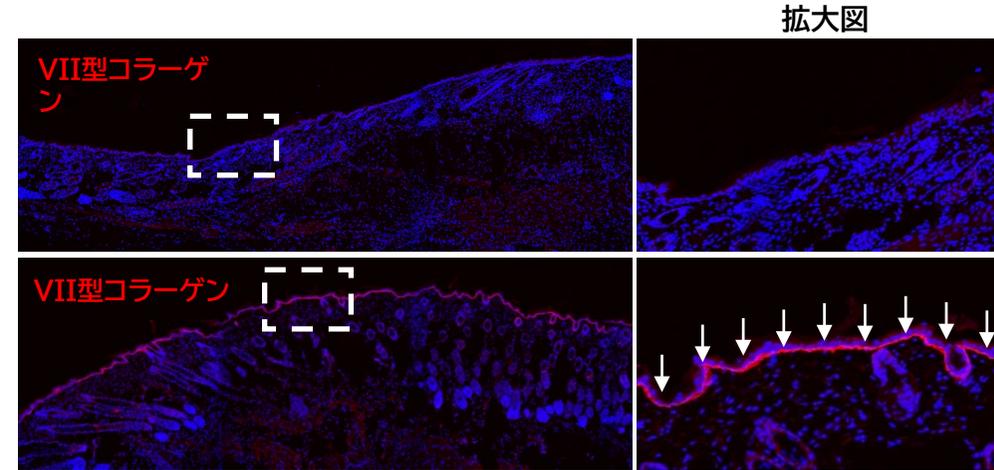
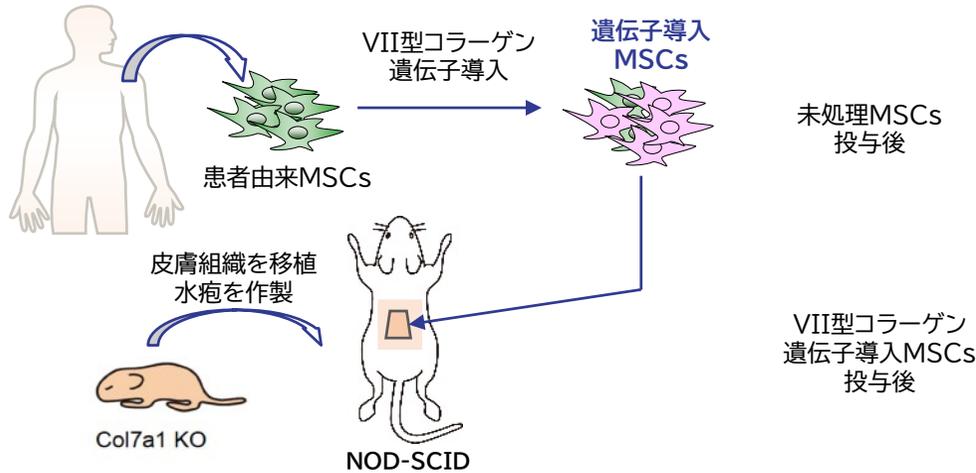
患者負担が少なく、高い薬効と持続期間を示す ex vivo 遺伝子治療を開発

治療法	in/ex vivo	対象細胞	製剤の性状	投与経路	StemRIMとの比較			
					治療部位	患者負担	持続期間	薬効
StemRIM	ex vivo	間葉系幹細胞	細胞懸濁液	水疱内投与	非潰瘍面	低	長期間 (持続的)	高
遺伝子導入細胞 表皮シート移植	ex vivo	皮膚角化細胞	表皮シート	表皮シート移植	潰瘍面	高	長期間 (限定的)	高
遺伝子導入細胞 皮内投与	ex vivo	皮膚線維芽細胞	細胞懸濁液	皮内投与	潰瘍面	高	限定的 (限定的)	低
ウイルスベクター 塗布	in vivo*	-	ウイルス懸濁液	局所投与	潰瘍面	低	短期間	高
タンパク質 補充療法	in vivo	-	タンパク質溶液	静脈投与	全身	低	短期間	高

*in vivo: ヒトや動物の体の中に直接被験物質を投与し、生体内や細胞内での反応をみる試験のこと

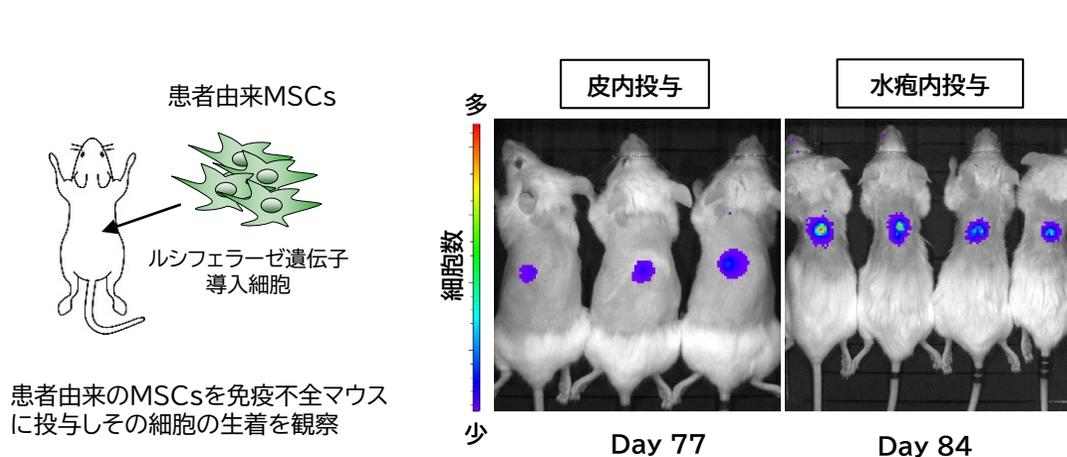
PJ5 表皮水疱症 幹細胞遺伝子治療(3)

遺伝子治療細胞を水疱内に投与することで、VII型コラーゲンタンパク質を**広範囲**に基底膜領域へ供給することを確認

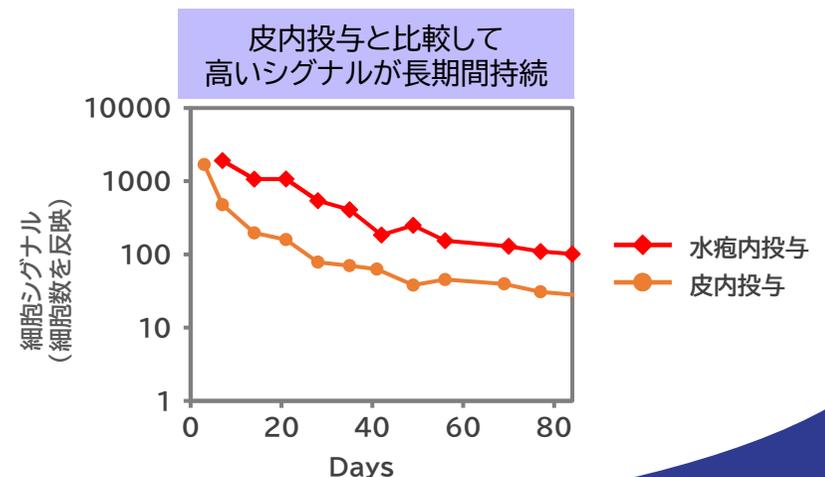


(出所)当社と大阪大学との共同研究

遺伝子治療細胞を水疱内に投与することで、VII型コラーゲンタンパク質を**広範囲**に基底膜領域へ供給することを確認



(出所)当社と大阪大学との共同研究



PJ5 表皮水疱症 幹細胞遺伝子治療(4)

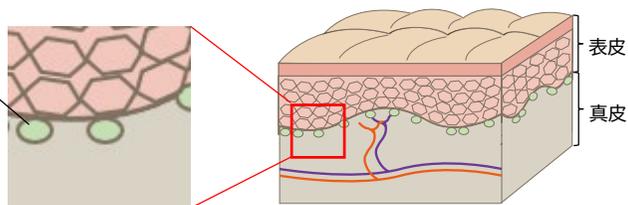
表皮水疱症モデル皮膚組織に対する遺伝子治療の効果を確認

- 患者由来MSCsを用いて表皮水疱症モデル皮膚組織を作製し、吸引法により水疱を人工的に形成することで遺伝子治療の効果を検討した

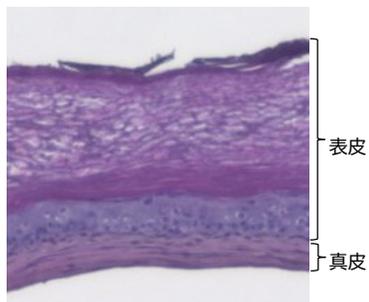
栄養障害型表皮水疱症モデル皮膚組織

モデル図

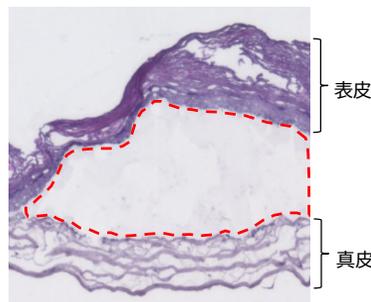
遺伝子未導入
MSCs
分泌
VII型コラーゲン
タンパク質(係留繊維)



吸引前



吸引後

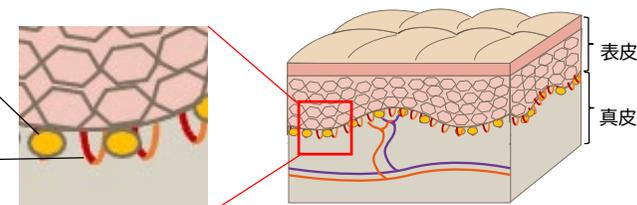


水疱形成部位

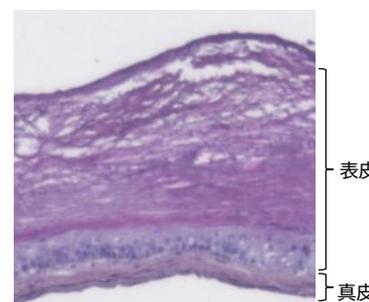
遺伝子治療細胞導入 栄養障害型表皮水疱症モデル皮膚組織

モデル図

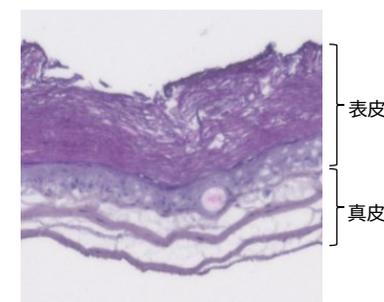
遺伝子導入
MSCs
分泌
VII型コラーゲン
タンパク質
(係留繊維の形成)



吸引前



吸引後



VII型コラーゲン遺伝子導入MSCsを用いた表皮水疱症モデル皮膚組織では水疱が形成されないことを確認

5 今後の成長戦略

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

※赤字は前回開示からの更新状況を示す。



彩都バイオインキュベータ
(彩都本社・動物実験施設)

臨床試験開始後、順次パイプライン化

PJ1レダセムチドの適応拡大

レダセムチドにおける非臨床研究のパイプライン化に向けた研究開発を進捗。

再生誘導医薬の
潜在価値最大化

動物実験施設の拡張*

2021年1月 設立

彩都本社建屋内に動物実験施設を新設。モデル動物薬効の迅速な確認と薬事戦略立案により、**レダセムチドに続く複数の再生誘導医薬候補物質を引き続き同定。**

開発パイプラインの拡充

2023年新規パートナーリング目標

レダセムチドに続く再生誘導医薬の候補について、顕著な活性を有する複数の新規候補化合物を同定。これらの導出活動を促進し、新たな事業提携へ。

再生誘導技術基盤の
強化方針

再生誘導医学協働研究所の設立*

2020年6月 設立

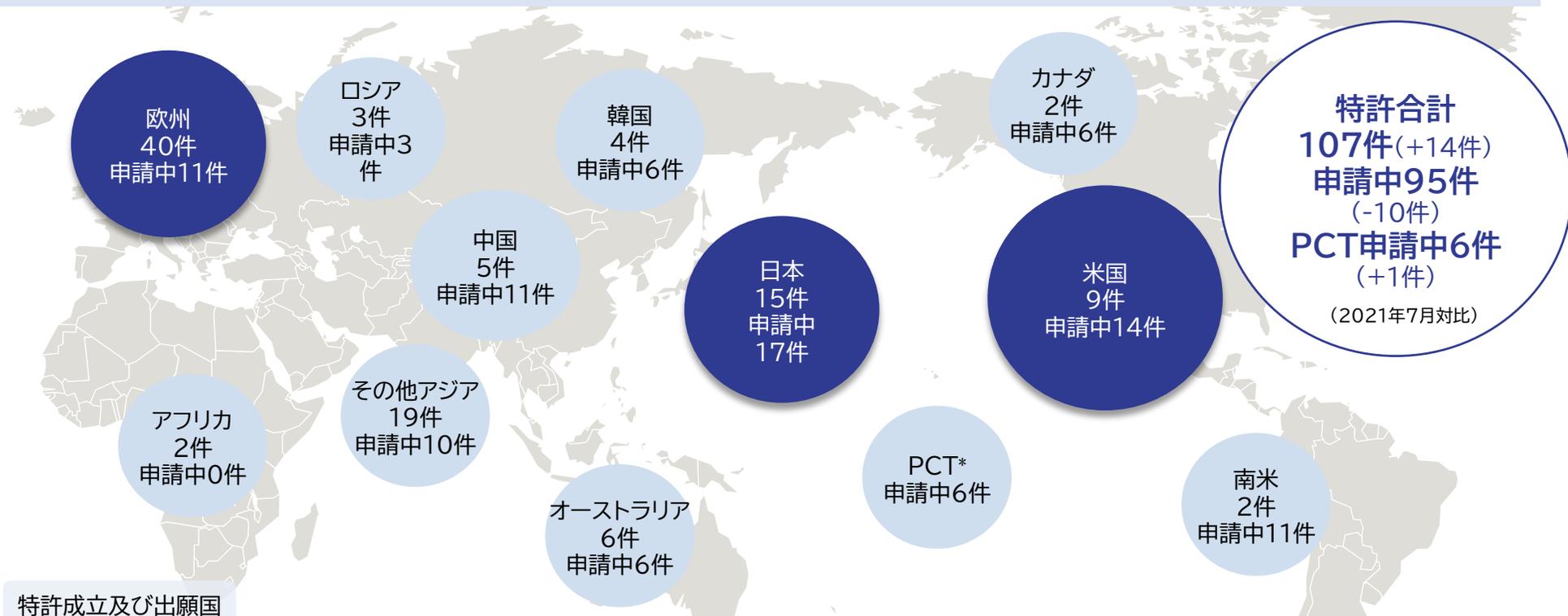
大阪大学内に設立した協働研究所によって、大学内の幅広い学部・学科との緊密かつ横断的な・効率的な連携が可能に。大阪大学をはじめとした各大学とのコラボレーションより、**レダセムチドの適応拡大に向けた非臨床試験を多面的に展開。**



大阪大学テクノアライアンス棟
(再生誘導医学協働研究所6,7F)

*今後研究進捗に応じ、適宜追加投資を検討

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

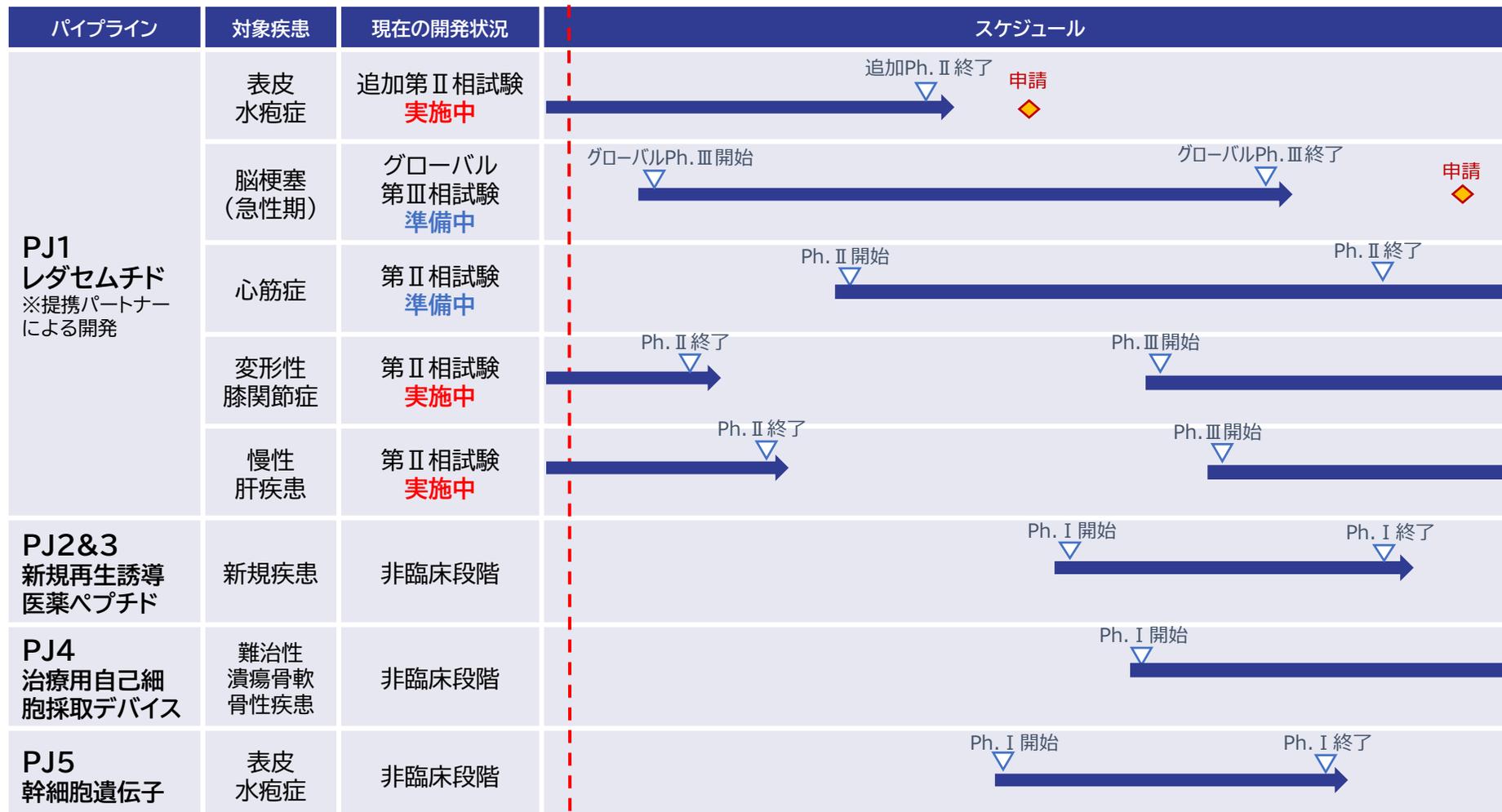


*:PCT:特許協力条約加盟国

注:2022年7月末時点

医薬品の開発期間は長期に渡ることから、長期経営構想に基づき開発パイプライン計画を策定

現在 |



※この表は当社想定を示しているものであり、記載通りに進捗することを保証するものではありません。

2022年7月期 研究開発進捗

前回開示内容(2021年10月26日)

2022年7月期 研究進捗見込

- 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

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

実績

2022年7月期 研究進捗実績

- 再生誘導医学協働研究所における大阪大学をはじめとした各大学とのコラボレーションにより、**レダセムチドの適応拡大に向けた複数の非臨床試験が進捗**
- 複数の展示会への出展及び企業マッチングを利用し、**複数の企業との導出交渉を展開**

2022年7月期 現金支出実績

研究開発に係る現金支出	1,156百万円*
一般管理費に係る現金支出	235百万円

*共同研究先である大阪大学との研究担当領域の変更により、当初見込額より研究用試薬の費用負担額が減少。

2023年7月期 研究開発進捗(見込)

事業収益の大半は開発マイルストーンが占めており、これら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し、受領時期を予想することは困難

➡ 現時点において2023年7月期業績予想を合理的に算出することは困難であるため、**業績予想は非開示**

2023年7月期 研究進捗見込

- 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

2023年7月期 現金支出見込

研究開発に係る現金支出	1,200百万円～1,600百万円
一般管理費に係る現金支出	230百万円～300百万円

調達資金の充当状況



(金額:百万円)

調達手段	調達金額	公表済み資金使途	予定支出金額 (時期)	実績支出金額 (時期)	未執行分支出金額 (時期)
新規上場に 伴う 株式売出 (2019年8月)	8,625	再生誘導医学研究所及び 動物実験施設の設立資金	7,195	—	—
			(2020.7期)	—	—
		現状で存在するパイプラインに係る 研究開発を推進する費用、及び 新規パイプラインの研究開発に係る費用	1,430	—	—
			(2020.7期)	—	—



2021年11月11日付「上場調達資金使途変更に関するお知らせ」にて資金使途の変更を開示

新規上場に 伴う 株式売出 (2019年8月)	8,625	再生誘導医学研究所及び 動物実験施設の設立資金 及び維持資金	3,153	1,549 内訳 〔 設立費用 940 維持費用 608 〕	1,604
			(2020.7期～ 2030.7期)	(2020.7期～ 2022.7期)	(2023.7期～ 2030.7期)
		現状で存在するパイプラインに係る 研究開発を推進する費用、及び 新規パイプラインの研究開発に係る費用	5,471	1,407 内訳 〔 外注費 287 研究材料費 453 共同研究費 666 〕	4,064
			(2020.7期～ 2026.7期)	(2020.7期～ 2022.7期)	(2023.7期～ 2026.7期)

- 再生誘導医学研究所の設立計画を自社購入から**賃貸(協働研究所)に変更** ⇒ **研究所開設時期の前倒し及び設立費用の削減**
- パイプライン開発のための**十分な資金を確保**

持続可能な未来の実現に向けて



2015年9月の国連サミットで採択されたSDGs(持続可能な開発目標)では、2030年をターゲットにした17の目標を設定しています。

「再生誘導医薬」の開発を目指すバイオ企業であるステムリムは、事業を通じて世界中の難治性疾患を患う人々に治療薬を提供することにより健康で豊かな暮らしを支えること、またより広い意味では、全てのステークホルダー(患者様、株主の皆様、取引先の皆様、従業員、社会)に対する社会的責任を果たすことで、持続可能な未来の実現を目指しています。

持続可能な開発目標(Sustainable Development Goals:SDGs)17項目のうち、当社は事業特性に直結する「目標3:すべての人に健康と福祉を」を最重点目標とし、取り組んでまいります。

SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS

最重点目標



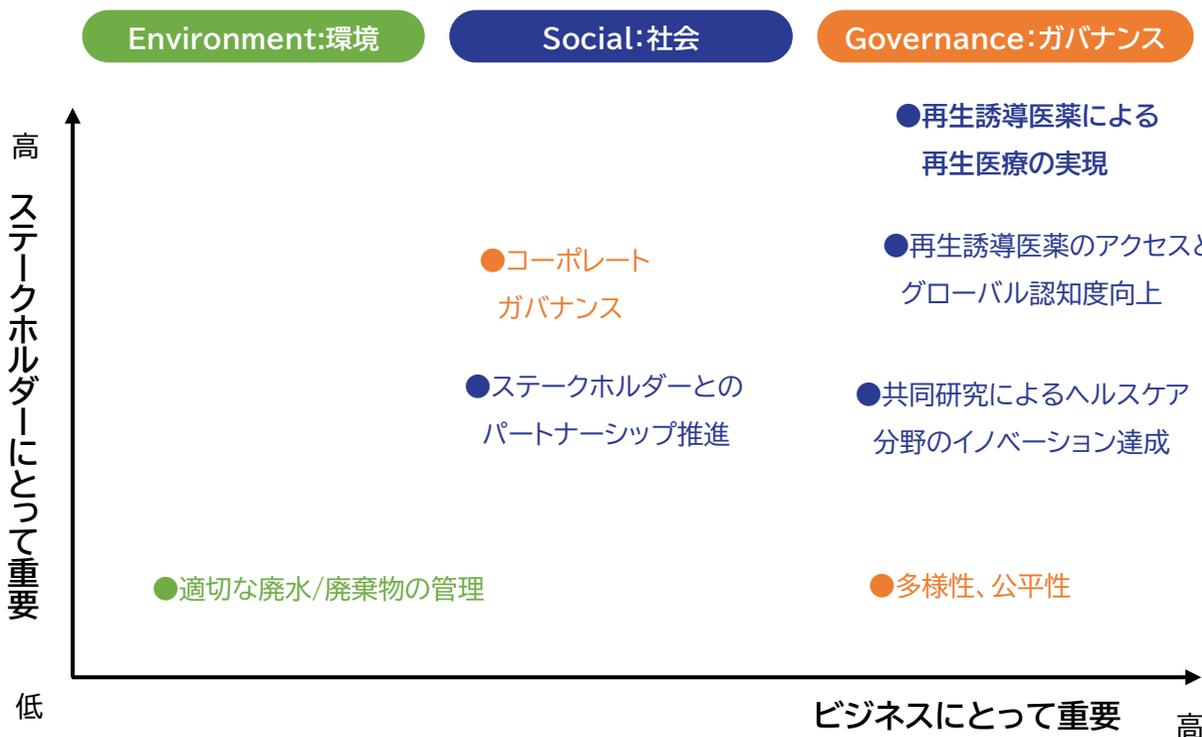
ターゲット:3.4/3.8



重要課題(マテリアリティ)の特定



当社が持続的な成長を遂げるとともに、SDGs等のグローバルな社会課題の解決を通じて、社会の持続的な発展に貢献することを目的として、下記の重要課題(マテリアリティ)を特定しています。持続可能な開発目標(Sustainable Development Goals:SDGs)17項目のうち、当社は事業特性に直結する**目標3**を**最重点目標**とし、それを実現するための**目標・事業の基盤**となる**目標の6項目**に注力し、取り組んでまいります。



	マテリアリティ	関連するSDGs開発目標
ポジティブインパクトの増大	<ul style="list-style-type: none"> 再生誘導医薬による再生治療の実現 再生誘導医薬へのアクセスとのグローバル認知度向上 <p>事業を通じて世界中の難治性疾患を患う人々に治療薬を提供することにより健康で豊かな暮らしを支える</p>	<p>3 すべての人に健康と福祉を</p> <p>ターゲット:3.4/3.8</p>
	<ul style="list-style-type: none"> 共同研究によるヘルスケア分野のイノベーションの達成 ステークホルダーとのパートナーシップ推進 	<p>8 働きがいも経済成長も</p> <p>ターゲット:8.2</p> <p>17 パートナーシップで目標を達成しよう</p> <p>17.17</p>
ネガティブインパクトの管理・抑制	<ul style="list-style-type: none"> コーポレート・ガバナンス 多様性、公平性 	<p>16 平和と公正をすべての人に</p> <p>ターゲット:16.b</p> <p>5 ジェンダー平等を實現しよう</p> <p>5.1/5.5</p>
	<ul style="list-style-type: none"> 持続可能な研究体制の構築(適切な廃水/廃棄物の管理) 	<p>6 安全な水とトイレを世界中に</p> <p>ターゲット:6.3/6.b</p> <p>12 つくる責任 つかう責任</p> <p>12.4</p>

6 リスク情報

リスク	顕在化の可能性 ／ 時期	対応策
<p>A) 医薬品パイプラインの開発及びそれに伴う収益獲得の不確実性</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床試験で有用な効果を発見できないこと等による、開発の延長や中止のリスク 当社が研究開発を行った医療用医薬品候補及び他社にライセンスアウトした医療用医薬品の候補の上市が延期又は中止された場合、当社の業績及び財政状態に重大な影響を及ぼすリスク 	<p>中／随時</p>	<ul style="list-style-type: none"> 臨床開発段階のパイプラインの複数保有する方針であります。 非臨床段階のパイプラインにおける、迅速な臨床開発段階への進捗いたします。
<p>B) 特定の提携契約に依存した事業計画について</p> <ul style="list-style-type: none"> 特定の製薬企業との限られた共同研究契約及びライセンス契約に依存するリスク ライセンスアウト先企業の経営環境の極端な悪化や経営方針の変更など、当社がコントロールし得ない何らかの事情により、契約期間満了前に契約終了するリスク 	<p>中／随時</p>	<ul style="list-style-type: none"> 後続パイプラインによる収益化に努め、現状の提携契約に基づく収益への依存度を低減していく方針であります。 他の製薬企業との新たな提携等により当事業計画への影響を最小限に抑えます。
<p>C) 資金繰り</p> <ul style="list-style-type: none"> 当社のような研究開発型企业は、多額の研究開発資金を必要とし、また研究開発費用の負担により長期にわたって先行投資の期間が続きます。この先行投資期間においては、継続的に営業損失を計上し、営業活動によるキャッシュ・フローはマイナスとなるリスクがあります。 現状では、当社は継続的なロイヤリティ収入などの安定的な収益源を有しておらず、今後の収益獲得については、レダセムチドの開発の進捗状況や、その他のパイプラインのライセンス交渉等の結果に大きく左右されるため、未だ、営業活動から安定的に資金が得られる状況にあるとは言えません。 	<p>小／随時</p>	<ul style="list-style-type: none"> 既存パイプラインにおける契約一時金やマイルストーン収入獲得を目指し、同時に計画的な資金調達を行うことで、必要な資金の確保を目指します。

※その他のリスクは、有価証券報告書に記載の「事業等のリスク」をご参照ください。

Appendix.

取締役



代表取締役会長CEO

富田 憲介

ローヌ・プーランローラー(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), 大和証券エスビーキャピタル・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。



取締役 ファウンダー

玉井 克人

1990年弘前大学大学院医学研究科博士課程修了。同年弘前大学医学部附属病院皮膚科助手。青森県立中央病院皮膚科、弘前大学医学部皮膚科助手などを経て、1991年米国ジェファーソン医科大学皮膚科留学。1996年弘前大学医学部附属病院皮膚科講師、2003年大阪大学大学院医学系研究科遺伝子治療学助教授、2006年当社設立。2022年より現任。大阪大学大学院医学系研究科再生誘導医学寄附講座教授(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分野のインキュベーション・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)社会変革推進財団ヘルスケアチーム・チームヘッド(現任)、SIIFインパクトキャピタル(株)代表取締役(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)ポール・メド・テック 取締役(現任)、百三総研株式会社 代表取締役(現任)

監査役

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 海外事業推進部部长、2017年10月より当社常勤監査役

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(現任)、(株)レックスアドバイザーズ取締役(現任)、工藤建設(株)監査役(現任)、コージンバイオ(株)取締役(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长, (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。

社名	株式会社ステムリム (StemRIM Inc.)
代表者	富田 憲介(代表取締役会長CEO) 岡島 正恒(代表取締役 社長執行役員)
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
株主資本	8,512百万円(自己資本比率88.7%)
役職員数	74名(2022年8月末時点)
研究開発員	<p>研究職60名</p>  <p>その他 34名 Ph.D 26名</p> <p>*Ph.D26名には医師、獣医師含む *2022年8月末時点</p>

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(HMGB1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おい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(2020年3月終了)
2019年4月	塩野義製薬(株)において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(2021年12月終了)
2019年8月	東京証券取引所上場(マザーズ(現グロース))
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
2021年12月	レダセムチドに関する急性期脳梗塞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
2022年7月	レダセムチドに関する表皮水疱症を対象とした追加第Ⅱ相臨床試験開始

本資料は、本資料の公開日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。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。

※次回の本開示は2023年10月ごろを予定しております。