



# 事業計画及び成長可能性 に関する事項

医療ニーズを把握し、医療現場で開発を進め、  
医療分野でのイノベーションに貢献すること、それが当社の願いです

2023年5月11日



- 本資料には、将来の見通しに関する記述が含まれています。これらの記述は、将来の事象や動向に関する当該記述を作成した時点における仮定に基づくものであり、当該仮定が必ずしも正確であるという保証はありません。さらに、こうした記述は将来の結果を保証するものではなく、リスクや不確実性を内包するものです。実際の結果は環境の変化などにより、将来の見通しが大きく異なる可能性があることにご留意ください。
- 上記の実際の結果に影響を与える要因としては、国内外の経済情勢や当社の関連する業界動向等が含まれますが、これらに限られるものではありません。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、かかる情報の正確性、適切性等について当社は何らの検証も行っておらず、またこれを保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表時期（5月）を目途に開示を行う予定です。

• 事業概要	••••	4
• 当社の強み	••••	22
• パイプライン進捗	••••	28
• 今後の成長戦略	••••	34
• 数値情報	••••	40
• リスク情報	••••	49
• Appendix	••••	51

## 事業概要

---



# 沿革（上場前後を中心とした主な動き）

Renaissance

<b>2000年</b>	<b>2月</b>	大学発の創薬ベンチャーとして株式会社レナサイエンスを設立
<b>2016年</b>	<b>10月</b>	Eirion Therapeutics, Inc.（米国）と皮膚科用薬としてのライセンス契約を締結
<b>2019年</b>	<b>12月</b>	日本医療研究開発機構（AMED）医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）に採択（PMS/PMDD）
	<b>12月</b>	あすか製薬株式会社と月経前症候群／月経前不快気分障害に関する共同開発及びオプション契約を締結
<b>2020年</b>	<b>5月</b>	Baxter Healthcare Corporationとディスプレイ極細内視鏡に関するライセンス契約を締結
	<b>7月</b>	チェスト株式会社と呼吸器AIの共同開発及び事業化に関する契約を締結
	<b>12月</b>	月経前症候群／月経前不快気分障害の第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始
	<b>12月</b>	第一三共株式会社と新型コロナウイルス感染症等の肺傷害に関するオプション契約を締結
<b>2021年</b>	<b>5月</b>	ニプロ株式会社と透析AIの開発に関する共同研究契約を締結
	<b>5月</b>	AMED橋渡し研究プログラムシーズCに採択（悪性黒色腫）
	<b>7月</b>	悪性黒色腫の第Ⅱ相試験（医師主導治験）を開始
	<b>9月</b>	東京証券取引所マザーズ市場に株式上場
<b>2022年</b>	<b>1月</b>	東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TREx）開設 TREx = Tohoku University x Renaissance

<b>2022年</b>	<b>3月</b>	AMED革新的がん医療実用化研究事業に採択（慢性骨髄性白血病）
	<b>4月</b>	AMED医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）に採択（糖尿病治療支援プログラム医療機器）
	<b>6月</b>	監査等委員会設置会社へ移行
	<b>8月</b>	慢性骨髄性白血病の第Ⅲ相試験（医師主導治験）における投与開始
	<b>9月</b>	株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルと共同研究契約を締結
	<b>11月</b>	NECソリューションイノベータ株式会社と基本合意書を締結
	<b>12月</b>	ディスプレイ極細内視鏡の薬事承認
<b>2023年</b>	<b>2月</b>	AMED医療機器開発推進研究事業に採択（維持血液透析医療支援プログラム医療機器）
	<b>3月</b>	AMED難治性疾患実用化研究事業に採択（全身性強皮症）
	<b>4月</b>	COVID-19に伴う肺傷害に対するPAI-1阻害薬RS5614のプラセボ対照二重盲検第Ⅱ相試験（医師主導治験）結果報告
	<b>4月</b>	広島大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（HiREx）開設 HiREx = Hiroshima University x Renaissance



## 高齢化（老化関連）及び少子化（女性や小児）の医療課題に注力

### 老化関連疾患

がん・糖尿病・呼吸器疾患・循環器疾患

慢性骨髄性白血病（医薬品）

新型コロナウイルス肺傷害（医薬品）

悪性黒色腫（医薬品）

間質性肺炎（医薬品）

皮膚血管肉腫（医薬品）

全身性強皮症肺傷害（医薬品）

非小細胞肺がん（医薬品）

極細内視鏡（医療機器）

糖尿病（プログラム医療機器）

呼吸器（プログラム医療機器）

血液透析（プログラム医療機器）

嚥下障害（プログラム医療機器）

心不全（プログラム医療機器）

### 女性・小児疾患

月経前症候群/月経前気分不快障害（医薬品）

更年期障害（医薬品）

小児代謝性疾患（診断薬）

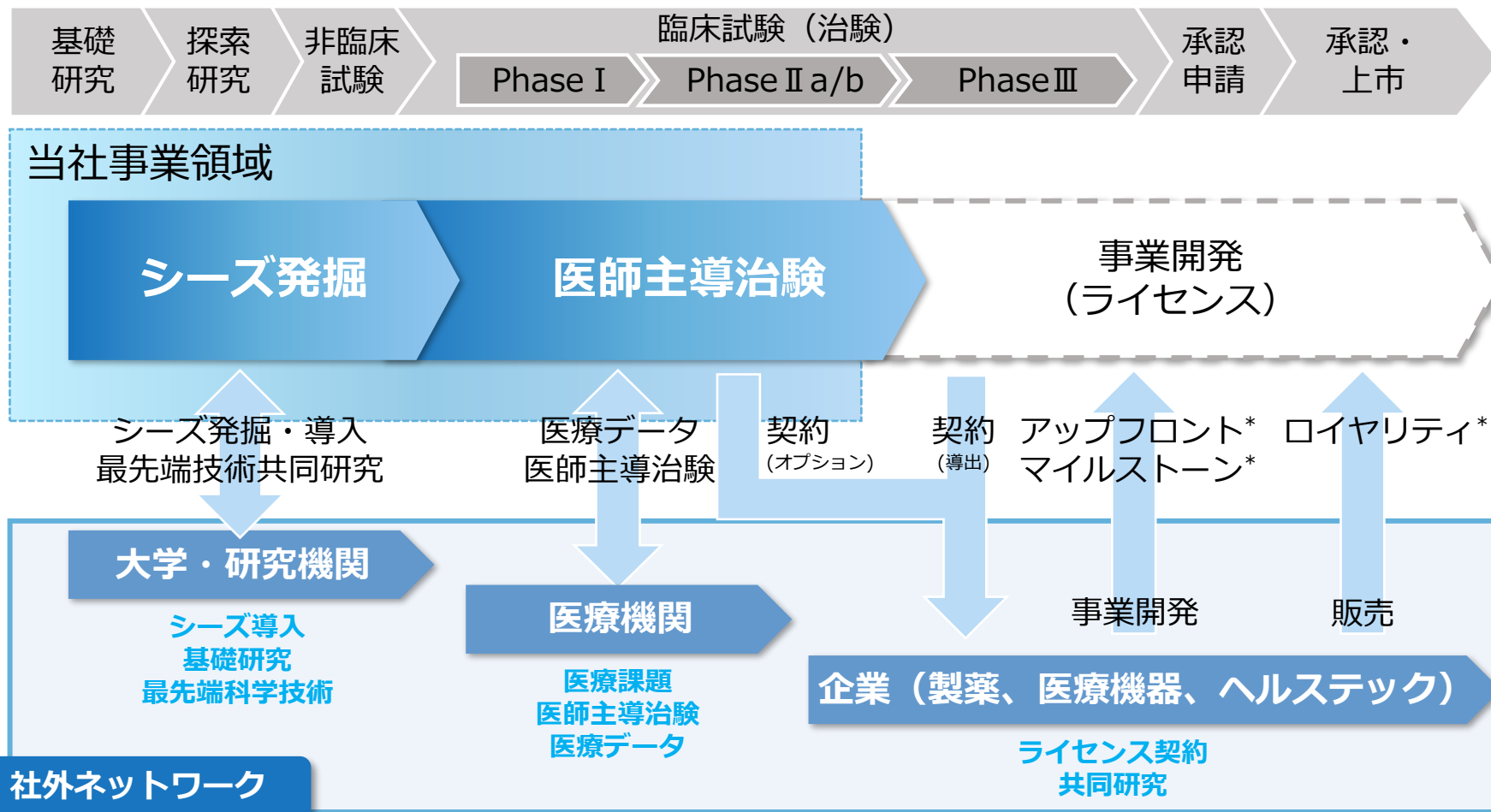
乳がん（プログラム医療機器）



# 基礎研究から医師主導治験まで一貫通貫での開発

希少疾患などの治療薬は大手製薬企業からは注力されにくい場合が多い  
第Ⅲ相試験まで自社で実施することで収益向上を期待

医薬品開発の場合（医療機器・プログラム医療機器の場合は開発プロセスが異なる）



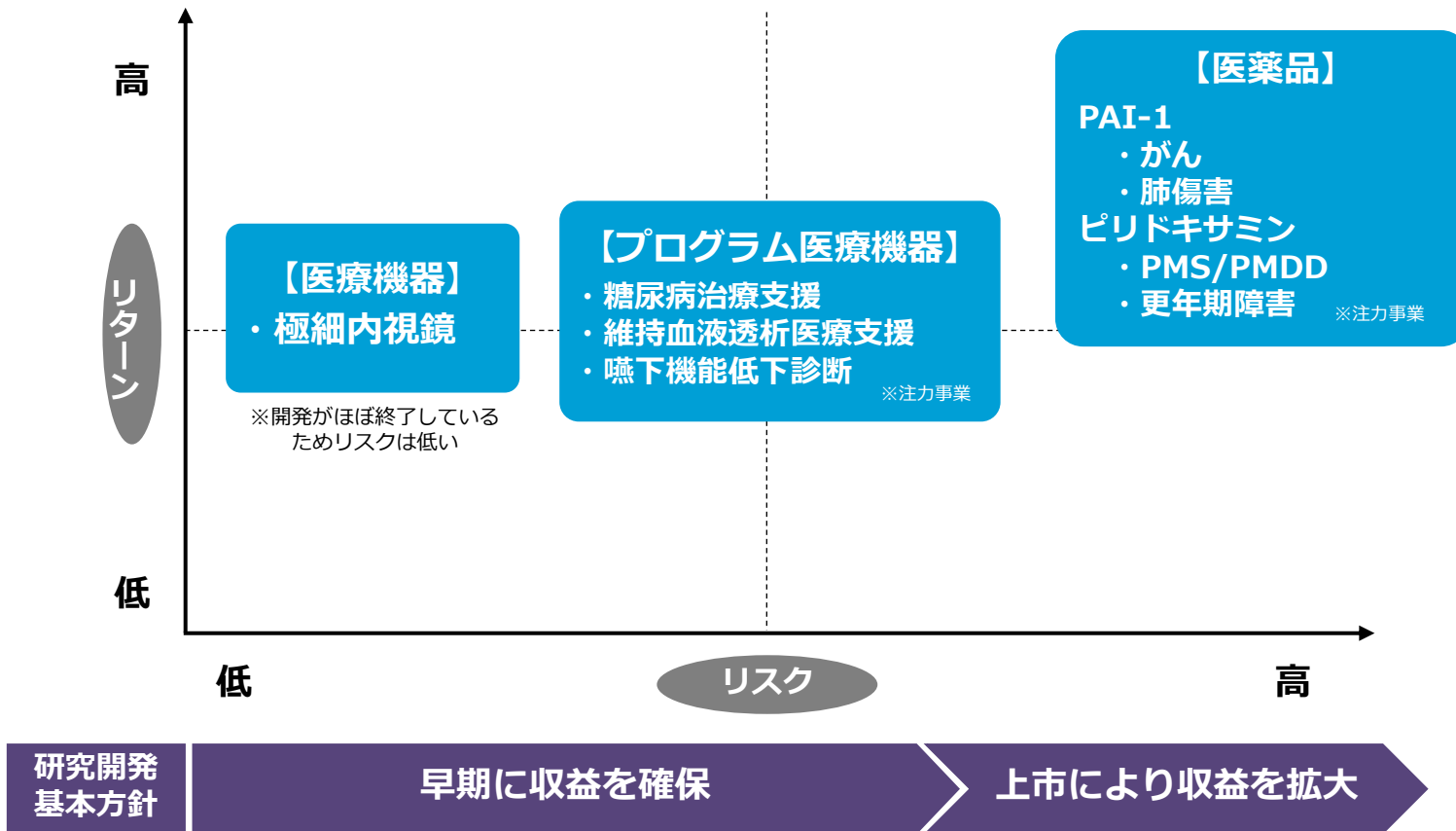
\* : 「アップフロント」は導出契約時の一時金、「マイルストーン」は治験進捗による一時金、「ロイヤリティ」は上市後の販売額に応じた収益



# 当社研究開発の基本的方針

医療現場の課題を解決するため、医師／研究者と共同で多様なモダリティ（医薬品、医療機器、プログラム医療機器（SaMD）など）を活用して医療ソリューションを開発  
 医療機器、SaMDによる早期収益確保、医薬品上市による収益拡大

## 【当社の医療ソリューション】（モダリティ）







当社PAI-1阻害薬（RS5614）は当社とアカデミアにより  
創出され、過去のPAI-1阻害薬候補にない安全性・有効性を確認済み  
PAI-1阻害薬は免疫チェックポイント阻害作用を有する

がん種	実施医療機関	補足	2023年度
慢性骨髄性白血病 (CML)	東北大学、東海大学、 秋田大学など12医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 後期第Ⅱ相試験で Proof-of-Concept(POC)取得</li> <li>□ がん幹細胞への作用</li> </ul>	□ 第Ⅲ相試験
悪性黒色腫 (メラノーマ)	東北大学、筑波大学、都立駒 込病院、近畿大学、名古屋市 立大学、熊本大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 免疫チェックポイント 阻害作用</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 第Ⅱ相試験終了</li> <li>□ 次相試験準備</li> </ul>
皮膚血管肉腫	東北大学、九州大学、自治医 科大学、愛媛大学、名古屋市 立大学、国立がんセンター	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 免疫チェックポイント 阻害作用、その他</li> </ul>	□ 第Ⅱ相試験
非小細胞肺癌	広島大学、島根大学、岡山大 学、鳥取大学、四国がんセン ター、広島市民病院	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 免疫チェックポイント 阻害作用</li> </ul>	□ 第Ⅱ相試験

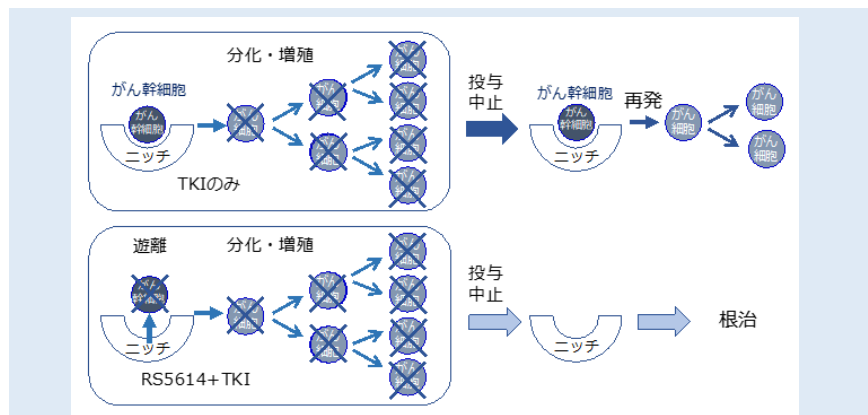


## 後期第Ⅱ相試験でPOC取得

## 「がん幹細胞」を標的とした治療薬、類似薬は無い

## 当薬剤のコンセプト

- RS5614は、がん幹細胞をがんニッチから追い出しがん幹細胞への抗がん剤による攻撃を可能とする
- CMLにおける現在の標準療法であるチロシンキナーゼ阻害薬(TKI)単独では、がん幹細胞への攻撃は不可能(再発リスク)
- RS5614とチロシンキナーゼ阻害薬(TKI)の併用により、がん幹細胞を滅ぼすことで、がんの再発を防ぎ根治(無治療寛解、TFR)を目指す(下図参照)



## 特徴

- 同様な作用が期待される臨床ステージ品なし
- 高価な第二世代TKIに代わって、安価なイマチニブジェネリック+RS5614で根治が期待できる

## 後期第Ⅱ相試験(終了)

目的: TKIにRS5614を1年間併用することにより48週時点でのDMR\*の累積達成率を33%に上昇させることを確認する(TKIのみの場合は8%程度に留まる)

\* がんの原因遺伝子が検出されない状態

主要評価項目: DMRに到達した患者の累積達成率

## 治験結果

有効性: DMR達成率33.3% (POC取得)

TKI使用歴が3~5年の患者では50%

安全性: 1年投与でも安全性・忍容性に優れる

## 第Ⅲ相試験

- AMED革新的がん医療実用化研究事業採択(2022年3月)(代表機関: 東北大学、レナサイエンス: 協力機関)
- 第Ⅲ相医師主導治験を2022年8月開始
- 試験終了後速やかな薬事承認を目指す

## 第Ⅲ相試験デザイン

- ✓ プラセボ対照二重盲検試験(東北大学など12施設共同)
- ✓ 被験者数: 60例
- ✓ 主要評価項目: 2年間のDMR維持(TFRの指標)率
- ✓ 期間: 4年(登録1年、DMR達成1年、DMR維持2年)



## 免疫チェックポイント分子を制御し免疫系を活性化 同様な作用が期待される臨床ステージ品は無い

### 当薬剤のコンセプト

- RS5614は経口投与を可能とする低分子免疫チェックポイント阻害薬
  - ✓ ヒトがん細胞を含む各種がん細胞やがん浸潤マクロファージで免疫チェックポイント分子**Programed Death Ligand-1 (PD-L1)**の発現を阻害
- 薬理試験でがん免疫賦活作用を有する
  - ✓ RS5614による制御性T細胞阻害
- 悪性黒色腫、大腸がん及び肺がんモデルで免疫チェックポイント阻害抗体との相乗効果を確認

### 第Ⅱ相試験 (医師主導治験)

#### 悪性黒色腫 (被験者登録終了)

- ✓ デザイン: 非盲検試験
- ✓ 被験者数: 40例
- ✓ 実施機関: 東北大学、筑波大学など 6 医療機関
- ✓ 治験報告書 (今年度中)

#### 皮膚血管肉腫

広島大学との包括的連携協定 (HiREx) で第Ⅱ相試験実施

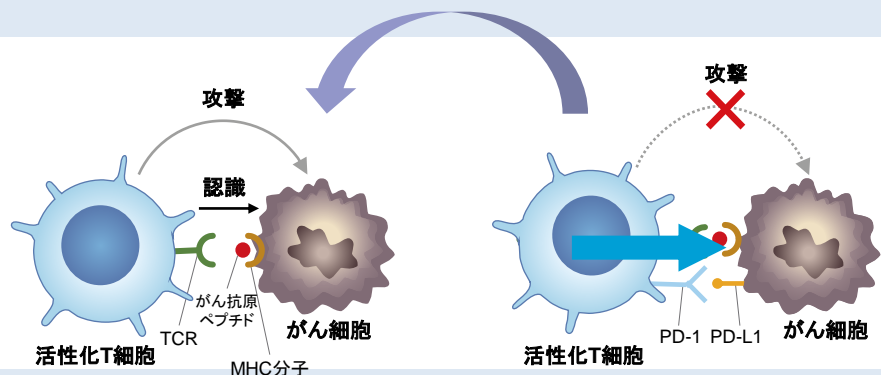
- ✓ デザイン: 非盲検試験
- ✓ 被験者数: 16例
- ✓ 実施機関: 東北大学など

#### 非小細胞肺がん

広島大学との包括的連携協定 (HiREx) で第Ⅱ相試験実施

- ✓ デザイン: 非盲検試験
- ✓ 被験者数: 39例
- ✓ 実施機関: 広島大学など

RS5614によるPD-L1発現阻害





## 様々な原因による肺傷害の治療薬

原因	実施医療機関	これまでの成果	2023年度
新型コロナウイルス 肺傷害	東北大学、京都大学など 20医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>RS5614の有効性を示唆 安全性を確認</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>次相試験に向けて 準備</li> </ul>
全身性強皮症に伴う 間質性肺疾患	東北大学、東京大学など 複数の医療機関	<ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床試験でRS5614の 優れた効果を証明 (東北大学共同研究)</li> <li>AMED難治性疾患実用化 研究事業採択</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>第Ⅱ相試験</li> </ul>
間質性肺炎	京都大学 (特発性肺線維症、 抗がん剤による間質性肺 炎について検討)	<ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床試験で効果を証明</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床試験を継続</li> </ul>



当社PAI-1阻害薬の、抗血栓、抗炎症、抗線維化作用に基づく創薬  
新型コロナウイルス発生から速やかに準備を開始し、2つの第Ⅱ相試験を完了

## 前期第Ⅱ相試験（医師主導治験）

- RS5614は経口投与
- 期間：2020年10月～2021年3月
- デザイン：非盲検試験
- 被験者数：30例予定（26例登録）
- 対象：新型コロナウイルス肺傷害患者（中等症、入院患者）
- 実施機関：東北大学、京都大学、東海大学、東海大学大磯病院、東海大学八王子病院、東京医科歯科大学、神戸市立医療センター中央市民病院（7医療機関）

**安全性**：有害事象なく、安全性が証明

**有効性**：非盲検試験なので有効性の評価は難しいが、投与された26名全例が重症化せず退院。退院後のCT画像も有意に改善

## 後期第Ⅱ相試験（医師主導治験）

- 期間：2021年6月～2022年10月
- デザイン：プラセボ対照二重盲検試験
- 被験者数：100例予定（75例登録）
- 対象：新型コロナウイルス肺傷害患者（中等症、入院患者）
- 実施機関：東北大学、京都大学、東海大学、東海大学大磯病院、東海大学八王子病院、東京医科歯科大学、東北医科薬科大学、聖マリアンナ医科大学、神戸市立医療センター中央市民病院、海老名総合病院、石巻赤十字病院、国立病院機構相模原病院、大崎市民病院、神戸市立医療センター西市民病院、田附興風会医学研究所北野病院、大阪赤十字病院、高槻赤十字病院、横須賀共済病院、横浜みなと赤十字病院、青梅市立総合病院（20医療機関）

感染者数が激減した時期やオミクロン株の出現により対象となる新型コロナウイルス肺傷害患者（中等症、入院患者）が減少したために治験期間を延長



# 新型コロナウイルス肺傷害の重症化治療薬開発（2）

主要評価項目、副次的評価項目（酸素投与必要総日数）は、症例数が少なく統計学的には有意差はなかったが、RS5614群の方がプラセボ群より改善し有効性が示唆された

## 主要評価項目：酸素化の悪化指標スケール

群	例数	中央値	最小値	最大値	平均	標準偏差	Wilcoxon 2-sample test
RS5614	30	1.5	0	22	4.1	5.8	P = 0.2176
プラセボ	31	4.0	0	25	5.1	5.4	

### 酸素化の指標スケール

- 0：酸素なし
- 1：経鼻ないしマスク酸素投与（ $\leq 2L$ ）
- 2：経鼻ないしマスク酸素投与（ $> 2L$ 、 $< 5L$ ）
- 3：経鼻ないしマスク酸素投与（ $\geq 5L$ ）またはリザーバー付きマスク酸素投与
- 4：ネーザルハイフローまたはNPPV（非侵襲的陽圧換気）
- 5：挿管下人工呼吸またはECMOまたは死亡

## 副次評価項目：酸素投与必要総日数

群	例数	中央値	最小値	最大値	平均	標準偏差	Wilcoxon 2-sample test
RS5614	39	2.0	1	14	3.4	3.9	P = 0.3437
プラセボ	36	3.5	0	13	3.8	3.4	





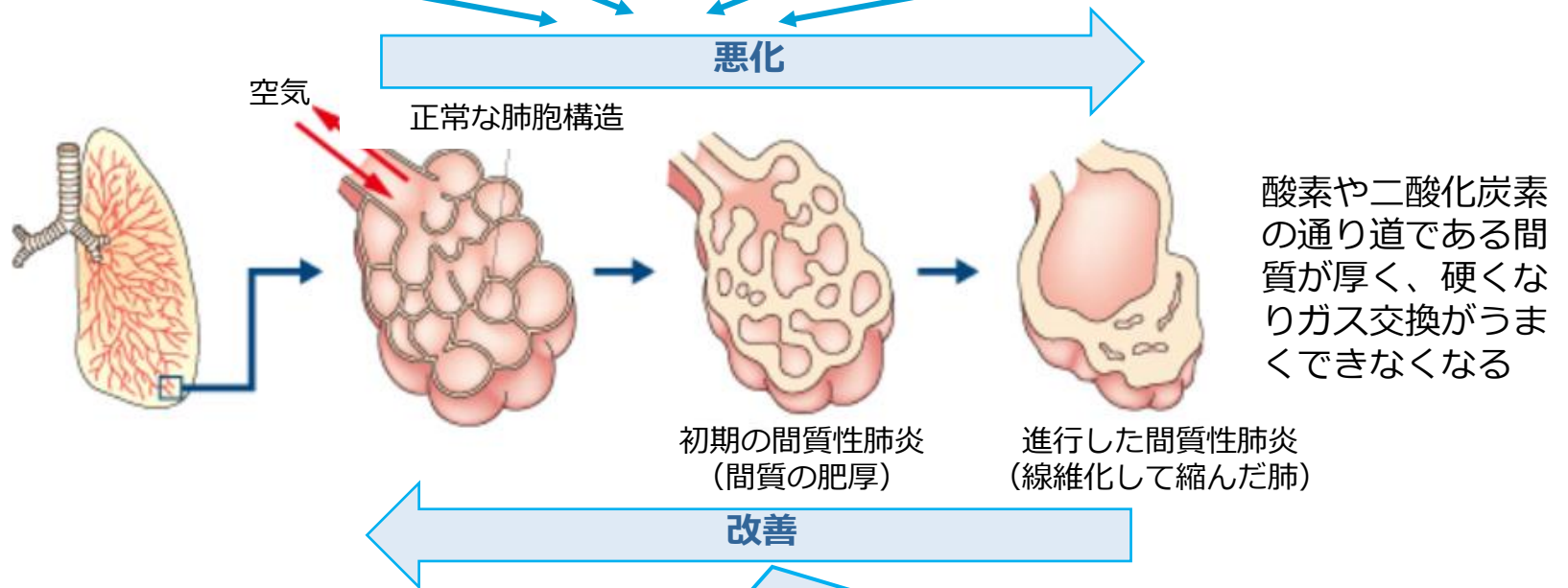
## 様々な原因による肺炎症・肺線維化を予防・治療

感染症（新型コロナウイルスなど）

自己免疫疾患（全身性強皮症など）

原因不明（特発性）

抗がん剤副作用



### RS5614

- ① 微小血栓の阻害
- ② 肺線維化の抑制
- ③ 肺気腫の抑制
- ④ 肺上皮細胞の保護作用
- ⑤ 炎症（サイトカインストーム）の改善





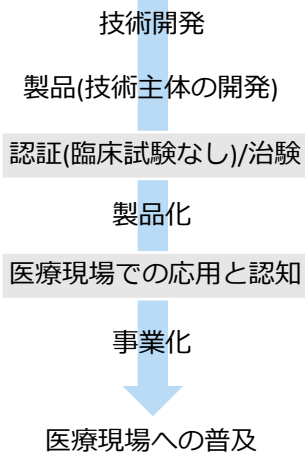
## 腹膜透析患者の腹膜状態を非侵襲的に診断

### 2022年12月、内視鏡本体のファイバースコープ薬事承認

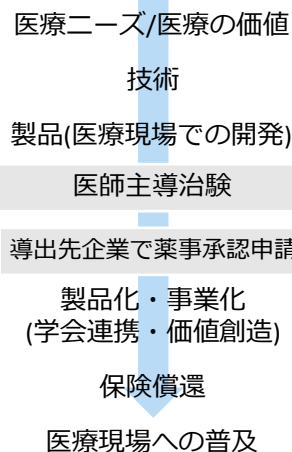
#### コンセプト

- 腹膜透析患者で留置されているカテーテルの中を通過して非侵襲的に腹膜状態を観察可能
- 医療現場の課題からヒントを得、医師の協力を得て開発
- 2020年5月 米Baxter社へ導出済み
- 2022年12月本体ファイバースコープ薬事承認（日本）

#### 一般的なアプローチ

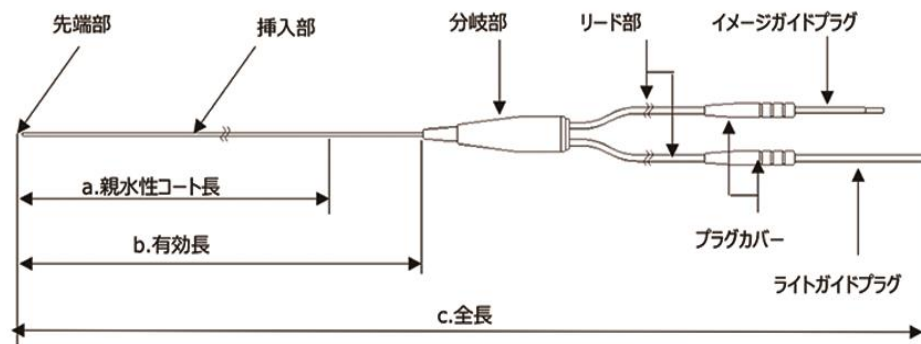


#### 当社のアプローチ



- 腹膜チューブを通して挿入できる極細内視鏡があれば、**非侵襲的に腹腔内を観察できるというアイデアと診断のコンセプト**を着想
- **バイオデザイン手法\***での開発

#### ディスポーザブル極細内視鏡



#### ガイドカテーテル

- ファイバースコープと組み合わせて使用することでファイバースコープの先端部分を自由に動かすことができる。必須の部品ではないが、内視鏡の操作性が向上する
- 2022年9月、株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルとガイドカテーテルの研究を含む共同研究契約締結
- 2023年度薬事申請予定

\* 開発の初期段階から事業化の視点も検証しながら、医療現場のニーズを出発点として問題の解決策を開発し、医療現場で最終医療機器（製品）をイメージして最適化開発を行うこと



実施臨床（診断や治療）に直結したプログラム医療機器（SaMD）  
医療機関・ITベンダー・事業会社をつなぐハブとして推進

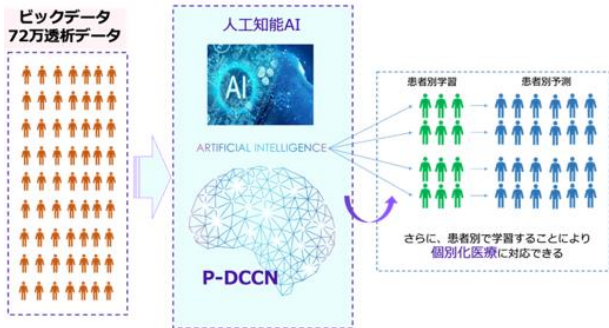
プロジェクト		共同研究・提携先			
		医療機関・診療科	ITベンダー	事業会社	
事業化 開発	RSAI01 呼吸機能検査診断	京都大学	呼吸器内科	NES	チェスト
	RSAI02 維持血液 透析医療支援	東北大学、聖路加国際 大学、東京大学、国際 医療研究センター、民 間透析医療機関	腎臓内科	NEC NES	ニプロ
	RSAI03 糖尿病治療支援	東北大学 など4医療機関	糖尿病内科	NEC NES	
	RSAI04 嚥下機能低下診断	東北大学	耳鼻科、歯科、口腔外 科、リハビリテーショ ン科	NEC	
探索	乳がん病理診断	東北大学	病理部	NES	
	心臓植込み型デバイスの 不整脈・ 心不全発症予測	東北大学	心臓血管外科	NEC	
	人工心臓における 血栓発生予測	東北大学	心臓血管外科		ハイレックス メディカル



## 透析中血圧低下をAUC0.91の確率で予測、総除水量を透析専門医と138 mlの誤差で予測可能であり、臨床的に使用可能な段階

### コンセプト

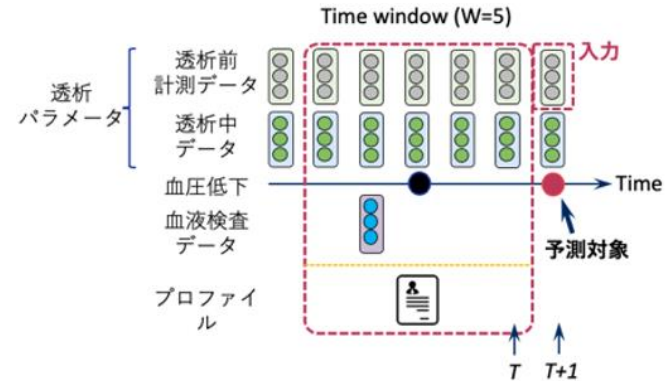
- 血液透析における除水不足は心肺機能に障害を与える一方、無理な除水は透析中の低血圧を生じ、気分不良、意識消失といった有害事象を生じる
- 透析病院では数十名の患者に対して、1名の医師、数名の看護師や臨床工学技士の少ないスタッフで治療を行っており、有害事象が発生するとスタッフは患者対応に追われ、大きな負担となる
- 安全安心な透析を支援するために、最適な総除水量を予測するプログラム医療機器（人工知能AI）を開発



### 特徴

- ディープラーニングをベースとしたDual-Channel Combiner Network (DCCN)を開発
- 日本の血液透析患者34万人の1%に相当するビッグデータで学習

### これまでの成果



- 患者の過去5回の透析データ及び透析当日のデータから高精度での除水量予測可能
- 透析開始前に透析中血圧低下（20mmHg以下）の発生する確率をAUC0.91の精度で予測し、さらに医師が経験的に設定した総除水量と138 ml（コップ1杯程度）の誤差で総除水量を予測するAIを開発済み
- ニプロ株式会社と共同研究契約締結（2021年5月）

### 今後の取組み

- AMED医療機器開発推進研究事業採択（2023年2月）（代表機関：東北大学、レナサイエンス：協力機関）
- **臨床性能試験実施（2023年度開始）**

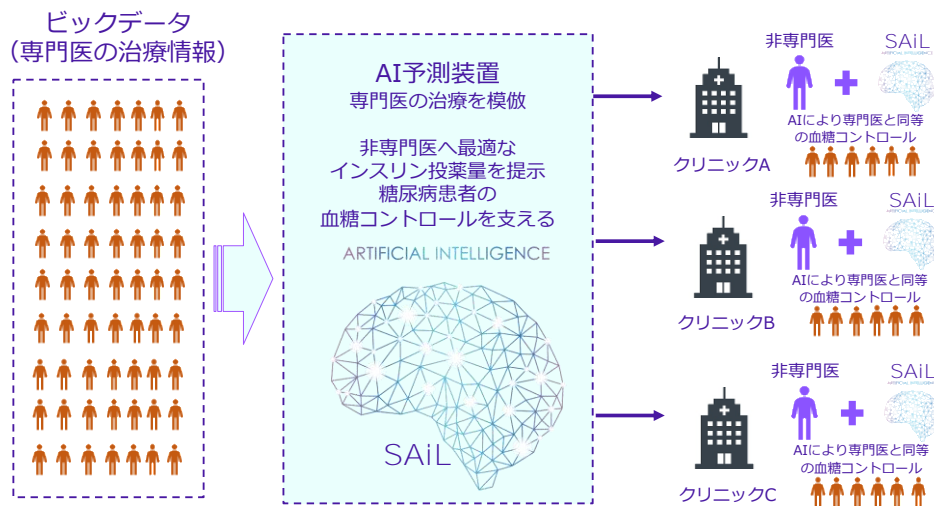


## インスリン投与量を予測するSaMD

糖尿病専門医の処方から2単位程度の誤差で予測可能

### コンセプト

インスリン投与量を予測できるAI (DM-SAIL) の開発によって専門医の経験を非専門医が活用することができれば、早期退院、合併症進行抑制など患者だけでなく医療現場の負担軽減などに貢献



### 特徴

- 汎用されている血糖値測定に基づくシステムであり、新たな侵襲的な処置の必要がない
- 医師が使うシステムであり、患者に対して新たな負担（肉体的・経済的）が軽微で導入ハードルが低い
- 同様な予測システムを用いた臨床ステージ品無し

### これまでの成果

- 東北大学病院糖尿病代謝内科の入院患者データ（1,000例）を用いて、新しい糖尿病AI「DM-SAIL」を取得
- 専門医のインスリン投与量から2単位程度の誤差で投与量を予測可能
- 高い正解率を達成、専門医処方からの誤差（MAE; 平均絶対値誤差）も極めて小さい（東北大学入院患者）

インスリンの種類	投与	正解率	MAE
超即効型	朝	90%	0.95
	昼	93%	0.65
	夕	89%	0.67
時効型	就寝前	94%	0.79

- AMED医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）採択（2022年4月）（代表機関：レナサイエンス）

### 今後の取組み

- 本AIをクラウド上で運用するためのシステム開発
- 臨床性能試験実施（2023年度開始）



## 音声から嚥下機能低下を評価

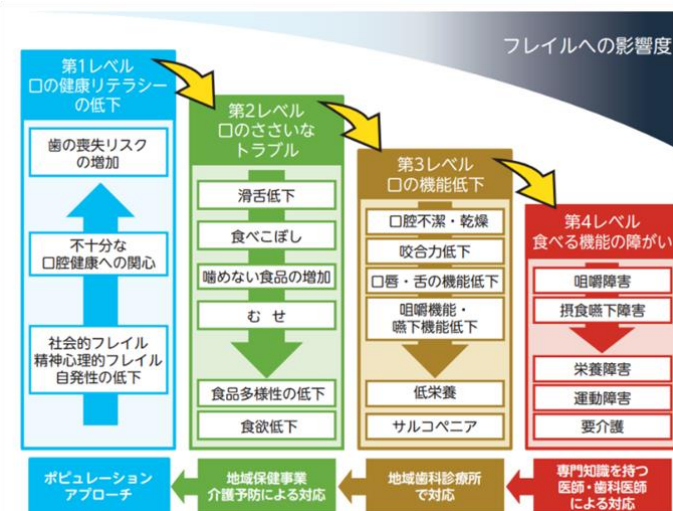
健常者のベースラインを確認し、患者音声を区別可能なAIを開発済

## コンセプト

- 超高齢化社会を迎え口腔機能低下や摂食嚥下障害は増加傾向にあり、高齢者の主な死亡原因となる肺炎の約7割が誤嚥性
- 現在は、嚥下内視鏡検査、嚥下透視検査方法等患者負担の大きな嚥下機能評価法しか無い
- 構音と嚥下では、舌、顎、咽頭など作用する器官が共通するため、構音機能から嚥下機能を予測できる可能性
- 高齢者の嚥下機能の維持と誤嚥性肺炎の防止により、全身性筋肉虚弱（フレイル）の防止と健康寿命の延伸が期待
- 嚥下障害に関わる医療従事者の実務負担を軽減

## 特徴

- 発電所や工場の異常検知AI「モデルフリー分析」を初めて医療応用
- 高齢の健常者の音声データでAIを構築し、異常（嚥下機能低下）の有無を判定



第3レベル（口の機能低下）での早期診断を実現する

## これまでの成果

- 150名の健常者の音声のベースライン（性差、年齢差、個人差等）を確認
- 健常者の発音と患者の発音の違いを検出し、嚥下機能の低下を評価するAIを開発済み

## 今後の取組み

- 患者（嚥下機能低下を有する高齢者）データで学習し、精度向上

## 当社の強み

---



今期の臨床試験稼働数は10本（予定）

内2本はプログラム医療機器の承認申請のための臨床性能試験

期間	実績		予定	
	2022年3月期	2023年3月期	2024年3月期	
臨床段階 パイプライン数	<b>6本</b>	<b>7本</b>	<b>10本</b>	
内訳	第Ⅲ相試験		<ul style="list-style-type: none"> <li>慢性骨髄性白血病</li> </ul>	
	第Ⅱ相試験	<ul style="list-style-type: none"> <li>新型コロナ肺傷害（日・米・トルコ）</li> <li>悪性黒色腫</li> <li>月経前症候群/月経前不快気分障害</li> <li>自閉スペクトラム症</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>新型コロナ肺傷害（日・米・トルコ）</li> <li>悪性黒色腫</li> <li>月経前症候群/月経前不快気分障害</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>悪性黒色腫</li> <li>月経前症候群/月経前不快気分障害</li> <li>皮膚血管肉腫</li> <li>非小細胞肺がん</li> <li>全身性強皮症</li> </ul>
	第Ⅰ相試験		<ul style="list-style-type: none"> <li>脱毛症（Eirion社）</li> </ul>	
	その他 臨床試験		<ul style="list-style-type: none"> <li>FGF23関連性低リン血症性くる病</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>更年期障害</li> <li>糖尿病治療支援SaMD</li> <li>維持血液透析医療支援SaMD</li> </ul>

(注) 臨床段階パイプライン数(2022年3月期・2023年3月期)：従前の資料では「実施見込み」もカウントしていたが、上記資料では「実際に実施したもののみ」へ変更



# 承認申請までの全ての開発過程を実施可能

基礎研究から承認申請まで一貫した研究開発  
パイプラインの収益性を高めることが可能（ロイヤリティ率向上など）

低 ← パイプラインの収益性 → 高

【医薬品】  
(上市が近いもの)



慢性骨髄性白血病

新型コロナ肺傷害

悪性黒色腫

月経前不快気分障害

【医療機器・SaMD】  
(上市が近いもの)



内視鏡

糖尿病 SaMD

透析 SaMD



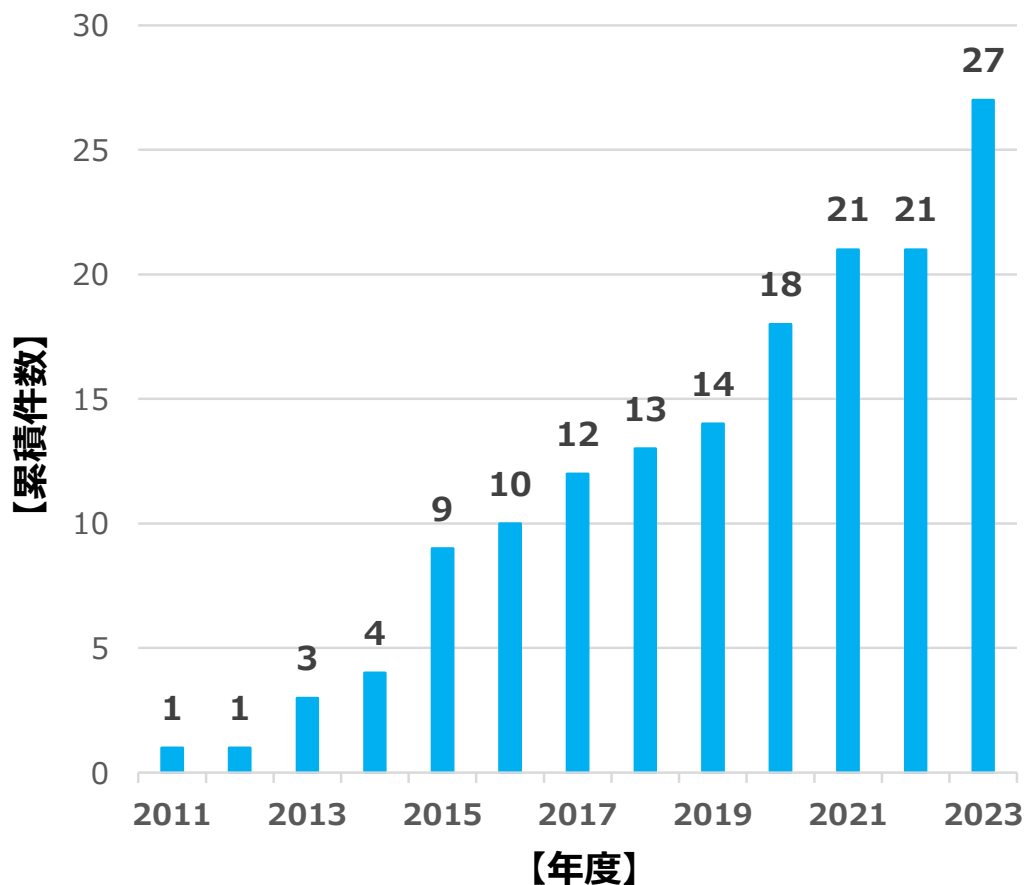




## 医師主導による治験等の実績：27件

(実施済み18件、実施中9件)

## 医師主導治験等の累積試験件数



## 実施中の試験（医師主導）

分類	開始年度	適応症	共同研究
Ph2	2020	PMS/PMDD	近畿大学、東京医科歯科大学など
Ph2	2021	悪性黒色腫	東北大学、近畿大学など6施設
Ph3	2022	CML	東北大学、秋田大学、東海大学など12施設
Ph2	2023	皮膚血管肉腫	東北大学など
Ph2	2023	非小細胞肺癌	広島大学など
Ph2	2023	全身性強皮症	東北大学など
臨床研究	2023	更年期障害	東京医科歯科大学など
性能試験	2023	糖尿病治療支援SaMD	東北大学など
性能試験	2023	維持血液透析医療支援SaMD	聖路加国際大学など

(注)「医師主導治験等の累積試験件数」：2023年から「臨床研究数」「臨床性能試験数」を含めている

## 年間研究開発費 23,524万円

内訳	自己負担	4,244万円
	公的資金	19,280万円
当社プロジェクトに関わる公的資金獲得総額 (当社及び共同研究先金額総計)		3.7億円

(2022年4月～2023年3月)

## 医師主導による治験等 27件

内訳	第Ⅲ相	1件
	第Ⅱ相	15件
	第Ⅰ相	7件
	Pivotal(内視鏡)	1件
	臨床研究	1件
	臨床性能試験	2件

(2023年3月末時点)

## 臨床段階パイプライン数 10本

内訳	第Ⅲ相	1本
	第Ⅱ相	5本
	第Ⅰ相	1本
	臨床研究	1件
	臨床性能試験	2件

(2023年3月末時点)

## 契約締結パイプライン数 6本

内訳	ライセンス契約	3本
	オプション契約	3件

(2023年3月末時点)

(注1)「役職員数」：人員数の増減が必ずしも当事業のパフォーマンスに結び付く訳ではないとの理由から、今年度のKPIから削除  
 (注2)「医師主導治験の実施機関数」：機関数を増やすことが必ずしも当事業のパフォーマンスに結び付く訳ではないため、今年度のKPIから削除  
 (注3)「臨床段階パイプライン数 10本」：2023年3月時点で実施中のものの他、今後実施予定の「見込み数」も含む

## パイプライン進捗

---



パイプライン	進捗
<b>医薬品</b>	
慢性骨髄性白血病	□ 第Ⅲ相医師主導治験開始（2022年8月）
悪性黒色腫	□ 第Ⅱ相医師主導治験患者登録完了（2023年3月）
非小細胞肺がん	□ 広島大学と共同研究契約締結（2022年10月）
新型コロナウイルス肺傷害	□ 後期第Ⅱ相医師主導治験終了（2022年10月）
全身性強皮症肺傷害	□ AMED難治性疾患実用化研究事業採択（2023年3月）
更年期障害	□ AMED女性の健康の包括的支援実用化研究事業採択（2023年3月）
<b>医療機器</b>	
ディスプレイザブル極細内視鏡	<ul style="list-style-type: none"> <li>□ 本体であるファイバースコープの薬事承認（2022年12月）</li> <li>□ 株式会社ハイレックスコーポレーション、株式会社ハイレックスメディカルとガイドカテーテルの研究を含む共同研究契約締結（2022年9月）</li> </ul>
<b>プログラム医療機器</b>	
維持血液透析医療支援SaMD	□ AMED医療機器開発推進研究事業採択（2023年2月）
糖尿病治療支援SaMD	□ AMED医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）採択（2022年4月）

(注1)「くる病」：今期、臨床研究を実施した結果、現時点で試験を実施できる投与量での試験継続が困難であると判断

(注2)「自閉スペクトラム症」：今期、第Ⅱ相試験の解析をした結果、導出先企業を確保できない限り、これ以上の開発を自社で進めることは困難と判断



## 2024年3月期の予定（当社が実施予定の治験等）

パイプラン		ステージ	共同研究先	公的資金
医薬品	慢性骨髄性白血病	第Ⅲ相	東北大学、秋田大学、東海大学など12施設	日本医療研究開発機構（AMED） 革新的がん医療実用化研究事業 （2022～2024）
	悪性黒色腫	第Ⅱ相	東北大学、筑波大学、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学、熊本大学	AMED橋渡し研究プログラムシーズC （2021～2023）
	皮膚血管肉腫	第Ⅱ相	東北大学、九州大学、自治医科大学、愛媛大学、名古屋市立大学、国立がんセンター	
	非小細胞肺癌	第Ⅱ相	広島大学、島根大学、岡山大学、鳥取大学、四国がんセンター、広島市民病院	
	全身性強皮症に伴う間質性肺疾患	第Ⅱ相	東北大学、東京大学など	AMED難治性疾患実用化研究事業 （2023～）
	PMS/PMDD	第Ⅱ相	近畿大学、東北大学、東京医科歯科大学、東京女子医科大学	AMED医療研究開発革新基盤創生事業 （2020～2024）
	更年期障害	臨床研究	東京医科歯科大学、近畿大学、弘前大学、東京歯科大学	AMED女性の健康の包括的支援実用化研究事業 （2023～2025）
プログラム 医療機器	糖尿病治療支援	臨床性能試験 （検証試験）	東北大学など	AMED医工連携イノベーション推進事業 （2022～2024）
	維持血液透析医療支援	臨床性能試験 （検証試験）	東北大学、聖路加国際大学、東京大学、国際医療研究センター、民間透析医療機関	AMED医療機器開発推進研究事業 （2023～2025）

（注）「極細内視鏡」「脱毛症」は導出先企業にて開発中のため、上記には未掲載



# パイプライン進捗 (1)

Renascience

## 低分子医薬品 PAI-1阻害薬

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ					申請・承認	共同研究	導出・提携先企業
			探索	前臨床	Ph1	Ph2	Ph3			
低分子 PAI-1 阻害薬	RS5614	慢性骨髄性 白血病(CML)	→			Ph2b POC取得	Ph3 2026年3月期終了予定		東北大学 東海大学 秋田大学 など12施設	
		悪性黒色腫	→						東北大学、筑波大学、 都立駒込病院、近畿大 学、名古屋市立大学、 熊本大学	
		皮膚血管肉腫	→						東北大学、九州大学、 自治医科大学、愛媛大 学、名古屋市立大学、 国立がんセンター	
		非小細胞 肺がん	→						広島大学、島根大学、 岡山大学、鳥取大学、 四国がんセンター、 広島市民病院	
		新型コロナウイルス 肺炎肺傷害	→				(日本) Ph2b 終了 (米・トルコ) Ph2終了		東北大学 など20施設 Northwestern Univ. Medeniyet Univ.	 Daiichi-Sankyo (オプション)
		全身性強皮症 肺傷害	→						東北大学、東京大 学など	
			間質性肺炎	→	探索段階				京都大学	
		RS5441	脱毛症	→			Ph1準備中 2024年3月期開始予定		Northwestern Univ.	 eirion (ライセンス)

(注)「くる病」：今期、臨床研究を実施した結果、現時点で試験を実施できる投与量での試験継続が困難であると判断し、記載を削除



# パイプライン進捗 (2)

Renascience

## 医薬品 ピリドキサミン

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ					共同研究	導出・提携先企業
			探索	前臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
低分子 ピリド キサミン	RS8001	PMS/PMDD				Ph2実施中 2024年3月期終了予定		近畿大学 東北大学 東京医科歯科大学 東京女子医科大学 など9施設	あすか製薬 (オプション)
		更年期障害				臨床研究		東京医科歯科大学、 近畿大学、弘前大 学、東京歯科大学	

## 医療機器、診断薬

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ			共同研究	導出・提携先企業
			探索	開発	事業化		
医療機器	RS9001	腹膜透析 (ディスプレイ 用極細内視鏡)			2022年12月 薬事承認済	東北大学 順天堂大学 東京慈恵医科大学	Baxter (ライセンス)
診断薬	-	フェニル ケトン尿症		探索研究実施中 2024年3月期終了予定		東北大学	

(注)「自閉スペクトラム症」：今期、第Ⅱ相試験の解析をした結果、導出先企業を確保できない限り、これ以上の開発を自社で進めることは困難と判断し、記載を削除





# パイプライン進捗 (3)

Renaissance

## 人工知能 (AI) ソリューション: プログラム医療機器 (SaMD)

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ			共同研究	導出・提携先企業
			探索	開発	事業化		
SaMD	RSAI01	呼吸機能検査診断	→			京都大学 NES	CHEST チェスト株式会社 (ライセンス) NEC
	RSAI02	維持血液透析医療支援	→ 開発研究実施中 臨床性能試験 2026年3月期終了予定			東北大学、聖路加国際大学、東京大学、国際医療研究センター、民間透析医療機関 NEC、NES	NIPRO (共同研究) NEC
	RSAI03	糖尿病治療支援	→ 開発研究実施中 臨床性能試験 2025年3月期終了予定			東北大学など4医療機関 NEC、NES	NEC
	RSAI04	嚥下機能低下診断	→ 開発研究実施中 2026年3月期終了予定			東北大学 NEC	NEC
	-	乳がん病理診断	→			東北大学 NES	
	-	心臓植込み型デバイス患者における不整脈・心不全発症予測	→			東北大学 NEC	
	-	人工心臓患者における血栓発生予測	→			東北大学	HI-LEX medical (共同研究)

(注)「小児発達障害」：今期、開発着手の検討を実施した結果、他の開発を優先させることとしたため、記載を削除

(注1) NECグループはAI研究開発の共同研究パートナー  
(注2) NES: NECソリューションイノベータ株式会社

## 今後の成長戦略

---



今後、PAI-1阻害薬の開発は、がん・肺領域に集中  
プログラム医療機器開発などのモダリティを追加し、事業基盤を強化

区分	今後の重点領域		パイプライン	実施体制
医薬品	PAI-1	がん	慢性骨髄性白血病	東北大学、東海大学、秋田大学など12医療機関との共同研究
			悪性黒色腫	東北大学、筑波大学、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学、熊本大学との共同研究
			New 皮膚血管肉腫	東北大学、九州大学、自治医科大学、愛媛大学、名古屋市立大学、国立がんセンターとの共同研究
			New 非小細胞肺がん	広島大学、島根大学、岡山大学、鳥取大学、四国がんセンター、広島市民病院との共同研究
		肺	COVID-19	東北大学、京都大学など20医療機関との共同研究
			New 間質性肺炎	京都大学との共同研究
			New 全身性強皮症	東北大学、東京大学など複数の医療機関との共同研究
その他モダリティ	プログラム医療機器	呼吸機能検査診断	京都大学、NESとの共同研究	
		維持血液透析医療支援	東北大学、聖路加国際大学、東京大学、国際医療研究センター、民間透析医療機関、NEC、NESとの共同研究	
		糖尿病治療支援	東北大学など4医療機関、NEC、NESとの共同研究	
		New 嚥下機能低下診断	東北大学、NECとの共同研究	
		New その他複数プロジェクトで開発予定	東北大学、NEC、NESとの共同研究	



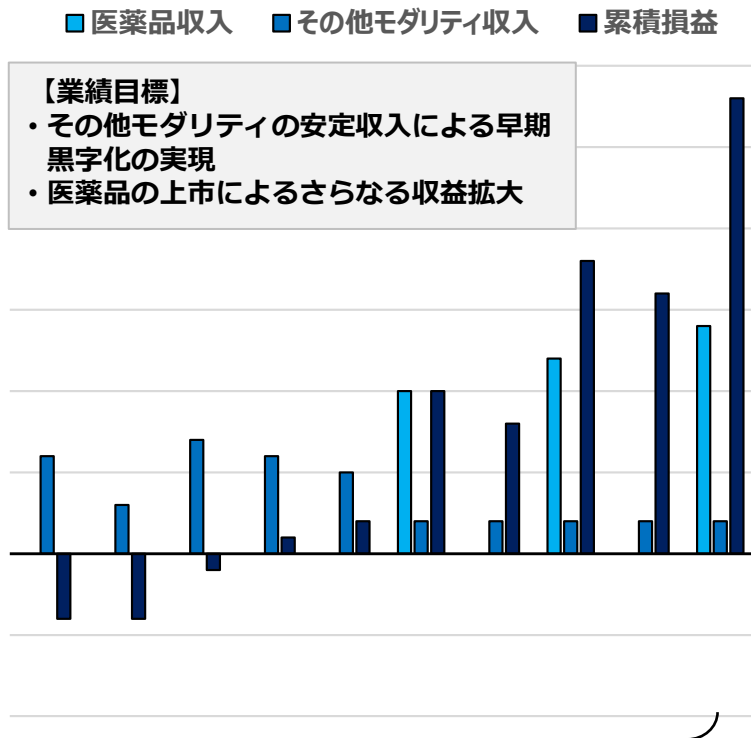
# 当社の収益構造と早期黒字化のための取組み

公的資金の活用や医薬品以外のモダリティによる収入の獲得により、収益性を高め、早期の黒字化を目指す

## 【早期黒字化のための取組み】

収益面	パイプライン開発数	↑
	医薬品以外のモダリティ収入	↑
費用面	公的資金獲得による研究費自己負担	↓
資金面	追加資金調達の可能性	↓

## 【当社収益構造と損益イメージ】



目標：収益性を高め、早期黒字化を目指す



## RExs開設による複数大学との包括的共同研究推進

### TREx

- 東北大学-レナサイエンスオープンイノベーションラボ

Tohoku University x Renascience

- **2022年1月開設**

- オープンイノベーション拠点



### これまでの実績

レナサイエンス研究員が常駐し、研究開発効率性の加速化、複数のシーズ導入を達成

### HiREx

- 広島大学-レナサイエンスオープンイノベーションラボ

Hiroshima University x Renascience

- **2023年4月開設**

- 包括連携協定書を締結し、共同で数々の医師主導治験を推進
  - 非小細胞肺がん 第Ⅱ相試験
  - 皮膚血管肉腫 第Ⅱ相試験
  - プログラム医療機器 臨床性能試験 (検証試験)

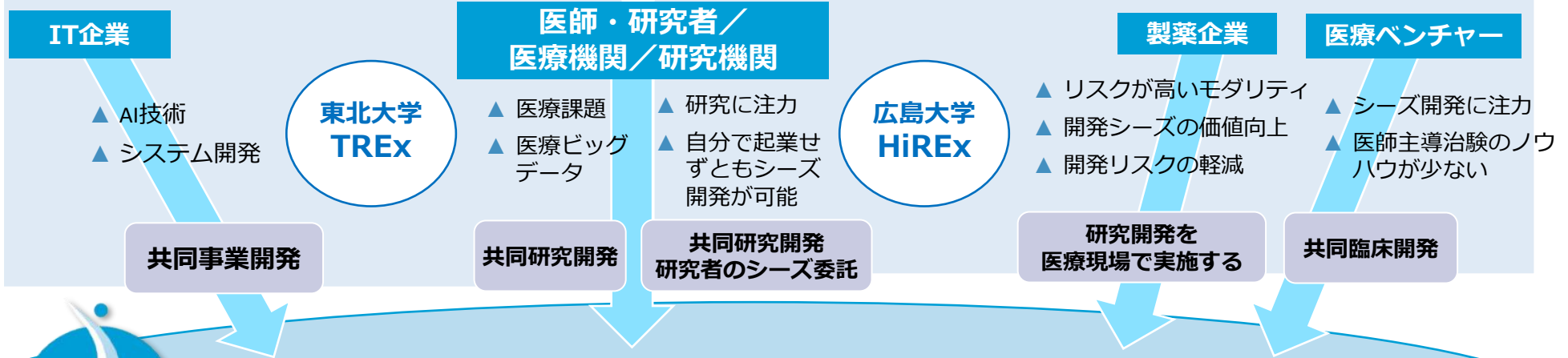




# オープンイノベーションに基づくエコシステムの形成

多様なパイプラインを効率的に稼働させる  
 プラットフォームの形成と研究開発エコシステムの実現  
 TREx、HiRExなどRExs設立によりアカデミアとの共創的な連携を拡大

人工知能(AI)などプログラム医療機器      医薬品





大学など公的研究機関並びに医療機関とのネットワーク拡大による研究推進  
医療機器とプログラム医療機器による早期収益確保、医薬品上市による収益拡大

### 医薬品

- がん関連パイプラインの確実な事業化
  - 慢性骨髄性白血病
  - 悪性黒色腫
  - 非小細胞肺がん
  - 皮膚血管肉腫
- 呼吸器疾患パイプラインの開発
  - 新型コロナウイルス肺傷害
  - その他原因による肺傷害
- オープンソースによる新規適応症発見  
(ドラッグリポジショニング)
- 医師主導治験の推進

### 人工知能 (AI) プログラム医療機器

- 開発段階パイプラインの早期事業化による収益確保
- 外部機関との共同研究によるプログラム医療機器パイプライン拡大

### 医療機器 (内視鏡)

- ディスポーザブル極細内視鏡の事業化による安定収入の確保 (ロイヤリティ収入)

### 研究基盤の充溢

- TREx/HiRExの活用
- さらに特色を生かした他大学でのREx整備

## 数值情報

---





当社医薬品候補の市場規模は、国内では数十億～数百億円、海外を含めると数千億規模に及び、その多くの市場で競合品は存在しない

## パイプライン市場規模

(2023年3月時点)

パイプライン		治療標的 セグメント患者数		当社推定市場規模 (TAM)	当社製品の特長
慢性骨髄性 白血病		日本	0.8万人	<b>115億円</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗がん剤併用で根治が期待される</li> <li>同様な作用の臨床開発品無し</li> </ul>
		米国	3.2万人	<b>2,560億円</b>	
免疫 チェック ポイント 阻害薬	悪性 黒色腫	日本	0.32万人	<b>13億円</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>免疫チェックポイント阻害作用を有する低分子医薬品（既存の抗体医薬と同様な作用）</li> <li>内服薬</li> <li>現状で内服可能な免疫チェックポイント阻害薬の上市・開発品無し</li> </ul>
		米国	8万人	<b>1,790億円</b>	
	非小細胞 肺がん	日本	13.0万人	<b>525億円</b>	
		米国	22.3万人	<b>5,001億円</b>	
新型コロナ ウイルス 肺傷害		日本	8.4万人	<b>56億円</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>肺炎症の治療薬で経口薬</li> <li>現状で内服可能な肺傷害治療薬の競合品無し</li> </ul>
		米国	310万人	<b>1兆1,500億円</b>	
全身性強皮症 肺傷害		日本	0.8万人	<b>113億円</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>内服可能な肺傷害治療薬</li> <li>動物モデルにおいて優れた効果を持つ</li> </ul>
		米国	6.3万人	<b>4,870億円</b>	
PMS/PMDD		日本	162万人	<b>474億円</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>極めて安全性が高い</li> <li>低用量ピルや抗うつ薬が未承認薬で用いられている本疾患において初めての承認薬となる</li> </ul>
		米国	401万人	<b>6,526億円</b>	



医療機器及び人工知能を用いたプログラム医療機器で上市に近いものの市場規模は数億～数十億円規模であり、現状、競合品は存在しない

## パイプライン市場規模

(2023年3月時点)

パイプライン	治療標的 セグメント患者数	当社推定市場規模 (TAM)	当社製品の特長
極細内視鏡 (腹膜透析)	日本：0.9万人	15億円	<ul style="list-style-type: none"> <li>腹膜透析患者のカテーテルを通じた腹膜状態の観察が可能</li> <li>現状で競合品無し</li> </ul>
糖尿病治療 支援SaMD	日本：10万人 入院施設数：7,100	42億円	<ul style="list-style-type: none"> <li>インスリン投与量を専門医と同等精度で予測可能</li> <li>現状で競合品無し</li> </ul>
維持血液透析 医療支援SaMD	日本：34万人 透析施設数：4,400	26億円	<ul style="list-style-type: none"> <li>透析中の急激な血圧低下を予測、また最適除水量を予測し、透析施設の人的資源活用に貢献</li> <li>現状で競合品無し</li> </ul>
嚥下機能低下 診断SaMD	日本：148万人	41億円	<ul style="list-style-type: none"> <li>構音から嚥下機能低下を簡便に診断することが可能</li> <li>現状で競合品無し</li> </ul>



23年3月期は前年度からパイプライン数を3本増やしたことにより研究費総額が大幅に増加したが、公的資金を確保することで研究費自己負担額を大幅に低減

分類	項目		単位	KPI実績		
				21/3期	22/3期	23/3期
開発	臨床段階パイプライン数(年間)		本	8	9	10
	医師主導による治験等実施数(累計)		件	21	21	27
資金	公的資金獲得額 (当社パイプライン研究開発に活用した額)		億円	4.2	6.2	3.7
	研究開発費(年間)	公的資金補助分	万円	6,883	6,108	19,280
		自己負担額	万円	1,260	2,163	4,244
		総計	万円	8,143	8,271	23,524
契約	契約締結数		件	7	8	6



23年3月期は、事業収益は計画を上回って着地、利益は赤字幅を縮小  
上場来、2期連続で事業収益・利益の上方修正プレスリリースを実施

損益計算書 (百万円)	23/3期			計画実績差異の主な内容
	計画*	実績	計画比%	
事業収益	90	100	111%	契約一時金 (第一三共オプション契約延長、ハイレックスコーポレーション・ハイレックスメディカル共同研究契約締結など) AMED助成金増額 (医工連携イノベーション推進事業)
事業原価	2	0	14%	—
事業費用	631	434	69%	—
研究開発費	407	235	58%	AMED採択による自己負担費用の削減 (CML、COVID-19など)
その他	224	199	89%	業務委託費の削減など
営業利益	△542	△333	—	—
経常利益	△542	△333	—	—
当期純利益	△542	△335	—	—

\* 2022年5月12日公表の2023年3月期通期業績予想より



24年3月期は前年度に比べ研究費の増額が見込まれるが、それを上回る事業収益の増加を見込み、前年度に比べて赤字幅は縮小する見通し

損益計算書 (百万円)	23/3期	24/3期	前年比%	通期予算の主な内容
	実績	予想		
事業収益	100	248	248%	<ul style="list-style-type: none"> <li>・極細内視鏡・脱毛症の一時金・マイルストーン収入などを見込んでおり、前年に比べて大幅に増加する見通し</li> <li>・なお、事業が順調に進んだ場合、上記以外にも収益を計上する可能性があるものの、不確実性が存在するため未計上</li> </ul>
事業費用	434	463	107%	-
研究開発費	235	272	116%	<ul style="list-style-type: none"> <li>・CML (第Ⅲ相)、PMS/PMDD (第Ⅱ相)などの治験費用を見込む</li> <li>・また、皮膚血管肉腫・非小細胞肺癌の治験を開始予定のため、前年度に比べてやや増加する見通し</li> </ul>
その他	199	191	96%	-
営業利益	△333	△243	-	<ul style="list-style-type: none"> <li>・前年度に比べて研究費が増額するものの、事業収益の増加により、赤字幅は縮小する見通し</li> </ul>



# 資金使途の概要

当社研究開発は順調に推移（パイプライン数の拡大、ステージアップ）  
調達資金の使途に変更無いが、公的資金獲得などにより大幅に減額

(単位：百万円)

上場時調達資金			充当額			
使途	内容	当初計画	実績 (23/3期時点)	計画		
				24/3期	25/3期	26/3期
借入金返済	AMED事業用担保資金の借入金返済	220	220	充当済		
研究開発費	CML治験費用(第Ⅲ相)	450	31	資金使途に変更がないが、公的資金獲得などにより今後3年間の充当額は、大幅に減額する見込み		
	AI医療ソリューション	150	11			
	基礎研究投資	20	0			
	グローバル展開	200	0			
	新規モダリティ	600	0			
合計		1,640	262			



# 資金使途の説明（1）

## 【新規上場時公表の資金使途】（2021年9月）

①	借入金返済	2.2億円	④	基礎研究投資	0.2億円
②	CML治験費用(第Ⅲ相)	4.5億円	⑤	グローバル展開	2.0億円
③	AI医療ソリューション	1.5億円	⑥	新規モダリティ	6.0億円

## 【資金使途実績と今後の見通し】

### ① 借入金返済

- ・ 実施済（2022年3月期）

### ② CML治験費用

- ・ 予定どおり第Ⅲ相医師主導治験を開始（2022年8月）
- ・ 2022年3月にAMED革新的がん医療実用化研究事業（代表機関：東北大学）に採択されたため当初予定していた研究開発費自社負担が大幅に軽減（CML試験終了までに一部充当）

### ③ AI医療ソリューション（プログラム医療機器）

- ・ 糖尿病治療支援プログラム医療機器への充当を予定していたが、当該プログラムが、2022年4月にAMED医工連携イノベーション推進事業（代表機関：レナサイエンス）に採択されたため研究開発費自社負担が軽減
- ・ 維持血液透析医療支援プログラム医療機器への充当を予定していたが、当該プログラムが、2023年2月にAMED医療機器開発推進研究事業（代表機関：東北大学）に採択されたため研究開発費自社負担が軽減



### ④ 基礎研究投資

- 当社研究開発拠点として東北大学メディシナルハブ内に東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TREx）を開設（2022年1月）
- 研究開発費（直接費）として使用予定。但し、公的資金獲得に伴い大幅に減額予定

### ⑤ グローバル展開

（全身性強皮症）

- 全身性強皮症臨床試験実施について、東北大学及びトルコ共和国イスタンブール大学の全身性強皮症専門医と試験計画などを議論（2022年2月～11月）
- AMED難治性疾患実用化研究事業に採択されたため（2023年3月）、海外より国内開発優先を決定

（その他海外展開の機会）

- グローバル展開は当社の重要課題：他のプロジェクト（COVID-19後遺症など）で海外での研究開発を協議中であり、必要に応じて本資金を一部充当予定

### ⑥ 新規モダリティ

- 2022年度、複数の新規モダリティプロジェクト（遺伝子治療）を評価したが、事業性などに課題を発見し導入には至らなかった。
- 人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器（SaMD）の研究開発にも注力



## リスク情報

---



# 事業遂行上の重要なリスクと対応方針

Renaissance

以下は、成長の実現や事業計画の遂行に重要な影響を与える可能性があるとして認識する主要なリスク（その他のリスクについては、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください）

	リスクの概要	顕在化の可能性/時期	影響度	対応策
特定人物への依存について	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 当社は、宮田会長（東北大学教授）の研究成果の事業化を目的として設立され、当社の研究開発活動において同氏への依存度は極めて高い</li> <li>■ 同氏の会社経営の執行が困難となった場合等には、当社の事業等に大きな影響を及ぼす</li> </ul>	中/中長期	大	優秀な人材の獲得により、宮田会長への依存度を軽減
収益の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 相手先の都合等により想定するタイミングでライセンス契約を締結できない</li> <li>■ 契約一時金、マイルストーン収入は継続的な収入でなく、売上高・利益等が非連続的に偏重</li> </ul>	中/中長期	大	パイプラインプロジェクトの数を増やすと共に、複数の医薬品・医療機器・プログラム医療機器開発等経験者及びビジネスディベロプメント経験者を社内外に確保
研究開発の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 医薬品、医療機器、プログラム医療機器が上市されるまでには有効性及び安全性の評価に関する数多くの探索及び検証並びに規制当局からの承認が必要となり不確実</li> </ul>	中/中長期	大	外部の開発ターゲットの疾患領域に精通する医師(キー・オピニオン・リーダー)、非臨床試験・臨床試験・CMC(Chemistry, Manufacturing and Control: 原薬及び製剤の開発)・薬事それぞれに精通する外部専門家(コンサルタント)並びに規制当局との事前相談を通じた情報収集に基づき試験の立案と実施
資金繰りに関して	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 医薬品、医療機器、プログラム医療機器の開発は長期にわたるものであり、収益に先行して研究開発費が発生</li> </ul>	中/中長期	大	営業キャッシュ・フローの早期黒字化に加え、金融機関との取引実績を積み重ねること等により、安定した資金調達を実施

## Appendix

---



# 市場規模推定の前提条件 (1)

	患者数	当社開発品のユニーク点	治療標的セグメント患者数	(参考)類似品1日薬価	服薬日数想定	競合品・開発品	
RS5614 (PAI-1阻害薬)	CML (Ph3)	日本：1.4万人 <sup>*2</sup> 米国：5.4万人 <sup>*3</sup>	<ul style="list-style-type: none"> <li>TKI併用でCML幹細胞を除去</li> <li>TKI単剤では再発リスクが高いが、当社RS5614は根治療法に繋がる（速やかなCML根治が期待できる）</li> </ul>	日本：0.8万人 米国：3.2万人  患者数の60%（TKI5年治療でDMRに達しない比率 <sup>*4</sup> ）	日本：4,811円 米国：26,700円	300日（副作用が少ないため）	<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な作用が期待される臨床ステージ品なし</li> <li>プロトコル上、第一世代・第二世代ともに併用可能</li> <li>安価なイマチニブ（ジェネリック）+RS5614で根治が期待される</li> </ul>
	メラノーマ (Ph2)	日本：0.4万人 <sup>*5</sup> 米国：10万人 <sup>*6</sup>	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口投与可能な免疫チェックポイント阻害薬</li> <li>がん免疫賦活作用</li> <li>免疫チェックポイント抗体医薬との相乗効果</li> <li>他がんへの適応拡大期待</li> </ul>	日本：0.32万人 <sup>*7</sup> 米国：8万人 <sup>*8</sup>  患者数の80%（米国でFirst-Lineとして80%が免疫チェックポイント抗体投与を受けている）	日本：4,811円 米国：26,700円	84日	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口チェックポイント阻害薬開発品なし</li> </ul>
	非小細胞肺がん (Ph2)	日本：32.5万人 <sup>*9</sup> 米国：55.8万人 <sup>*10</sup>	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口投与可能な免疫チェックポイント阻害薬</li> <li>がん免疫賦活作用</li> <li>免疫チェックポイント抗体医薬との相乗効果</li> </ul>	日本：13.0万人 米国：22.3万人  非小細胞肺がんは肺がんの8割程度であり、そのうち5割がステージ3又は4で免疫チェックポイント阻害薬の適応対象となる	日本：4,811円 米国：26,700円	84日	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口チェックポイント阻害薬開発品なし</li> </ul>

\*1： 想定TAM=治療標的セグメント患者数×類似品1日薬価×服薬日数想定（服薬率、当社製品市場シェア考慮前の想定）  
COVID-19の薬価がトシリスマブ類似薬効方式で算定されることを前提としてCML、メラノーマ、非小細胞肺がんの薬価を適用



# 市場規模推定の前提条件 (2)

	患者数	当社開発品のユニーク点	治療標的セグメント患者数	(参考)類似品1日薬価	服薬日数想定	競合品・開発品
RS5614 (PAI-1阻害薬)	日本：42万人*2 米国：1,550万人*3	<ul style="list-style-type: none"> <li>肺微小血栓、気道炎症、線維化に対する多面的効果、肺上皮細胞保護作用</li> <li>重症化を阻止</li> <li>新型コロナウイルスによる肺炎だけでなく様々なARDSの重症化阻止</li> </ul>	日本：8.4万人 米国：310万人  20%が中等症以上に悪化すると仮定*4)	日本：1日薬価4,800円 x 14日間投与 (アクテムラ 8 mg/kg 67,358円と同薬価)  米国：26,700円 x 14日間 (アクテムラ米国価格 374,000円と同薬価*5)	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗リウマチ薬 (JAK阻害薬)</li> <li>IL-6阻害薬 アクテムラ (大阪大学、中外製薬)</li> </ul>	
	日本：2.7万人*6 米国：23.9万人*7	<ul style="list-style-type: none"> <li>肺微小血栓、気道炎症、線維化に対する多面的効果、肺上皮細胞保護作用</li> </ul>	日本：8,100人 米国：63,000人  日本では30%がびまん性*8で5～6年以内に内臓病変が出現  米国におけるSSc-ILD有病率は10万人あたり19.0人*7	日本：4,811円 米国：26,700円	290日 (コンプライアンス80%を想定)	<ul style="list-style-type: none"> <li>ニンテダニブ (ベーリンガーインゲルハイム)</li> </ul>
RS8001 (ピリドキサミン)	日本：162万人 米国：401万人  女性人口*9 x 50% (有月経人口女性人口は女性の約半数*10) x 5% (有病率*11)	<ul style="list-style-type: none"> <li>月経周期に伴う重篤な精神症状を改善</li> <li>初めての承認薬を目指す</li> <li>女性にも処方しやすい安全性の高さ*12</li> </ul>	日本：162万人 米国：401万人  *投薬対象は、中等症～患者で100%を想定	ジェイゾロフト 日本：240円 米国：1,334円	122日	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗うつ薬</li> <li>ピル</li> <li>漢方</li> </ul>

\*2：厚生労働省 (2022年3月31日時点)  
 \*3：United States coronavirus information and stats (2022年3月31日時点)  
 \*4：新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針 (2022年1月19日)  
 \*5：代表的なpharmacy価格 (\$1 = 120円)

想定TAM\*1  
 日本：56億円  
 米国：1兆1,500億円

想定TAM\*1  
 日本：113億円  
 米国：4,870億円

\*6：平成29年度衛生行政報告例 第10章 難病・小児慢性特定疾病 特定医療費(指定難病)受給者証所持者数、年齢階級・対象疾患別  
 \*7：Rheumatology 2021;60:1915-1925  
 \*8：https://kyohisho.jp/

想定TAM\*1  
 日本：474億円  
 米国：6,526億円

\*9：総務省統計局  
 \*10：ユニセフ プレスリリース  
 \*11：Takeda, Tet al. Prevalence of premenstrual syndrome and premenstrual dysphoric disorder in Japanese women. Archives of women's mental health 9, 209-212 (2006).  
 \*12：実際の臨床試験での有害事象が少ない

\*1： 想定TAM = 治療標的セグメント患者数 x 類似品1日薬価 x 服薬日数想定 (服薬率、当社製品市場シェア考慮前の想定)  
 COVID-19の薬価がトシリズム類似薬効方式で算定されることを前提として全身性強皮症の薬価を適用



## 市場規模推定の前提条件 (3)

		患者数	当社開発品のユニーク点	事業性			競合品・開発品
RS9001 (腹膜透析内視鏡)	腹膜透析 (承認)	日本：0.9万人*2 台湾：0.6万人*3 韓国：0.7万人*4	<ul style="list-style-type: none"> <li>腹膜透析患者で留置されているカテーテルの中を通して非侵襲的に腹膜状態を観察可能</li> <li>腹膜透析のシェア拡大に貢献</li> </ul>	(治療標的セグメント患者数) 日本：0.9万人 台湾：0.6万人 韓国：0.7万人	(類似品1日薬価) 163,000円/回	1回/年	<ul style="list-style-type: none"> <li>開腹もしくは硬性鏡による侵襲的観察</li> </ul>
					想定TAM*1 日本：15億円 台湾：10億円 韓国：11億円		*2：一般社団法人 日本透析医学会 *3：社團法人台湾腎友生活品質促進協會 *4：Nature (2019) 9:5905   <a href="https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z">https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z</a>
RSAI02	維持血液透析医療支援	日本：34万人  国内透析施設数 4,400	<ul style="list-style-type: none"> <li>血液透析の際に一定頻度で発生する急激な血圧低下イベントを正確に予測可能</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;前提&gt; 本システム使用料・月5万円/(1施設)を課金(仮定)</li> <li>&lt;想定TAM&gt; 5万円/月 x 12か月 x 4,400施設=26億円</li> </ul>	想定TAM*1 日本：26億円		<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な研究開発品なし</li> </ul>
RSAI03	糖尿病治療支援	日本糖尿病入院患者数：10万人  国内糖尿病入院施設数 7,100	<ul style="list-style-type: none"> <li>入院患者におけるインスリン投与量を専門医と同等の精度で予測する</li> <li>早期血糖コントロールによる非専門医の負担軽減</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;前提&gt; 本システム使用料・月5万円/(1施設)を課金(仮定)</li> <li>&lt;想定TAM&gt; 5万円/月 x 12か月 x 7,100施設=42億円</li> </ul>	想定TAM*1 日本：42億円		<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な研究開発品なし</li> </ul>
RSAI04	嚥下機能低下診断	日本において40代から90代の口腔機能低下者の10%が嚥下機能低下の診断を受けると仮定：148万人	<ul style="list-style-type: none"> <li>構音から嚥下機能低下を簡便に診断可能</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;前提&gt; 本システム使用料・年1,400円/を課金(仮定)</li> <li>&lt;想定TAM&gt; 1,400円/年 x 148万人 x 2回/年= 41.4億円</li> </ul>	想定TAM*1 日本：41.4億円		<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な研究開発品なし</li> </ul>

\*1： 想定TAM = 治療標的のセグメント患者数 x 類似品1日薬価 x 治療日数想定



# パイプライン開発計画 (1)

2024年3月期

パイプライン		今後の研究開発				契約		
RS5614	慢性骨髄性白血病	Ph2	2020/12 Ph2終了 POC取得	Ph3	承認申請	上市		
	悪性黒色腫			Ph2	Ph3	承認申請		
	皮膚血管肉腫			Ph2	Ph3	ライセンス契約		
	非小細胞肺癌			Ph2	Ph3	ライセンス契約		
	新型コロナウイルス ルス肺傷害	日本	Ph2a		Ph2b	Ph3	承認申請	上市
		海外			Ph2	今後の方針 検討中	承認申請	
	全身性強皮症				Ph2	Ph3	ライセンス契約	
間質性肺炎				Ph2	Ph3			
RS5441	脱毛症	ライセンス契約		オプション ブイヤー	Ph1	Ph2		





# パイプライン開発計画 (2)

2024年3月期

パイプライン		今後の研究開発				契約		
RS8001	PMS/PMDD		Ph2	ライセンス契約	Ph3	承認申請	あすか製薬 (オプション契約締結済)	
	更年期障害		臨床研究			Ph2		
RS9001	極細内視鏡	ライセンス契約	承認申請	上市	保険償還		Baxter (ライセンス契約締結済)	
プログラム医療機器	呼吸機能検査診断	疾患モデル	POCモデル	2021/10 MS取得			CHEST チェスト株式会社 (ライセンス契約締結済)	
	維持血液透析医療支援	探索モデル	事業化モデル	2021/05ニプロ共同研究契約締結	臨床試験	ライセンス契約	上市 保険償還	NIPRO (共同研究契約締結済)
	糖尿病治療支援	探索モデル	事業化モデル		臨床試験	ライセンス契約	上市 保険償還	
	嚥下機能低下診断	探索モデル	事業化モデル	オプション契約	臨床試験	ライセンス契約	上市 保険償還	
診断薬	フェニルケトン尿症	2021/05 出願		臨床試験	ライセンス契約			