



事業計画及び 成長可能性に関する事項

2024年10月31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。

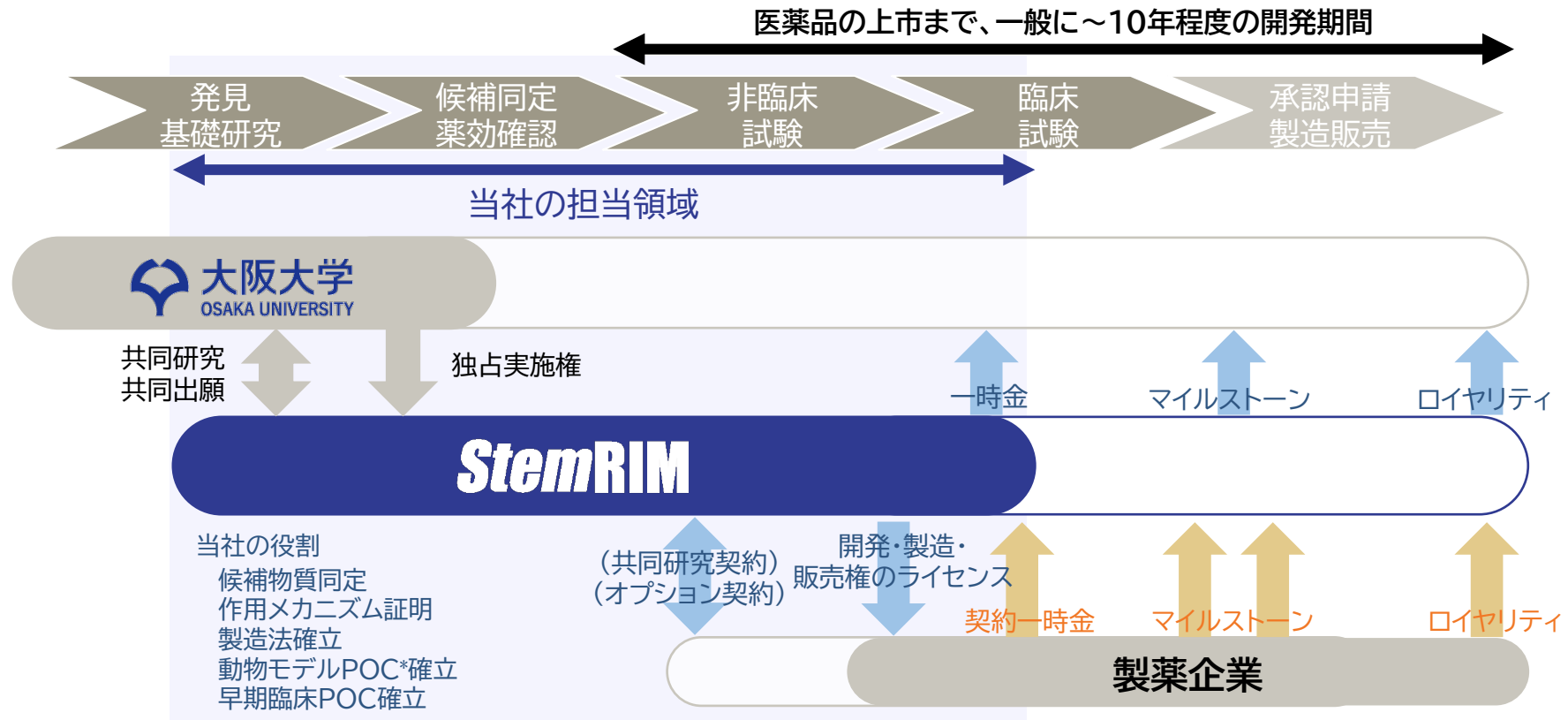
「再生誘導医薬[®]」とは、人が本来持つ組織修復能力を最大限に引き出すことにより、機能的な組織・臓器の再生を誘導する新しい医薬品です。

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

ビジネスモデル（大阪大学発“創薬研究開発型”バイオテック企業）



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*	4,046百万円
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。

- ・2024年7月期は研究進捗に係るマイルストーン収入、契約一時金の計上はなく、**事業収益はゼロ**。創薬バイオベンチャーというビジネスモデル上、不安定な収益構造。
- ・期末時点で**84億円**の現預金を保有。2025年7月期の年間支出見込額は14.3億円～19.1億円(研究開発費に係る現金支出:12～16億円、一般管理費に係る現金支出:2.3億円～3.1億円)であり、現時点で**2028年までの安定的な研究開発活動のための資金**を確保。

(単位:百万円)

	2020年7月期	2021年7月期	2022年7月期	2023年7月期	2024年7月期	対前期比
事業収益	2,100	1,400	22	2,350	—	—
研究開発費	1,356	1,523	1,421	1,567	1,453	-113
事業費用合計	1,684	1,993	2,003	2,207	2,076	-131
営業利益又は営業損失(△)	415	△593	△1,980	142	△2,076	-2,218
経常利益又は経常損失(△)	361	△583	△1,972	145	△2,077	-2,223
当期純利益又は当期純損失(△)	347	△582	△1,948	168	△2,022	-2,190
現金及び預金残高	10,675	10,172	8,880	10,217	8,410	



当社サイエンティフィックファウンダー・取締役
玉井 克人氏

<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



大学院医学系研究科 再生誘導医学寄附講座
幹細胞遺伝子治療学講座



- ・再生誘導医薬[®]における基礎研究
- ・作用メカニズムの証明

再生誘導医薬[®]の実現に向けた
強固な研究開発体制

国内外の他大学
研究機関

新たな
コラボレーション



- ・候補物質の同定
- ・作用メカニズムの証明
- ・新規候補物質における製造法確立
- ・動物モデルPOC確立
- ・新規候補物質の導出



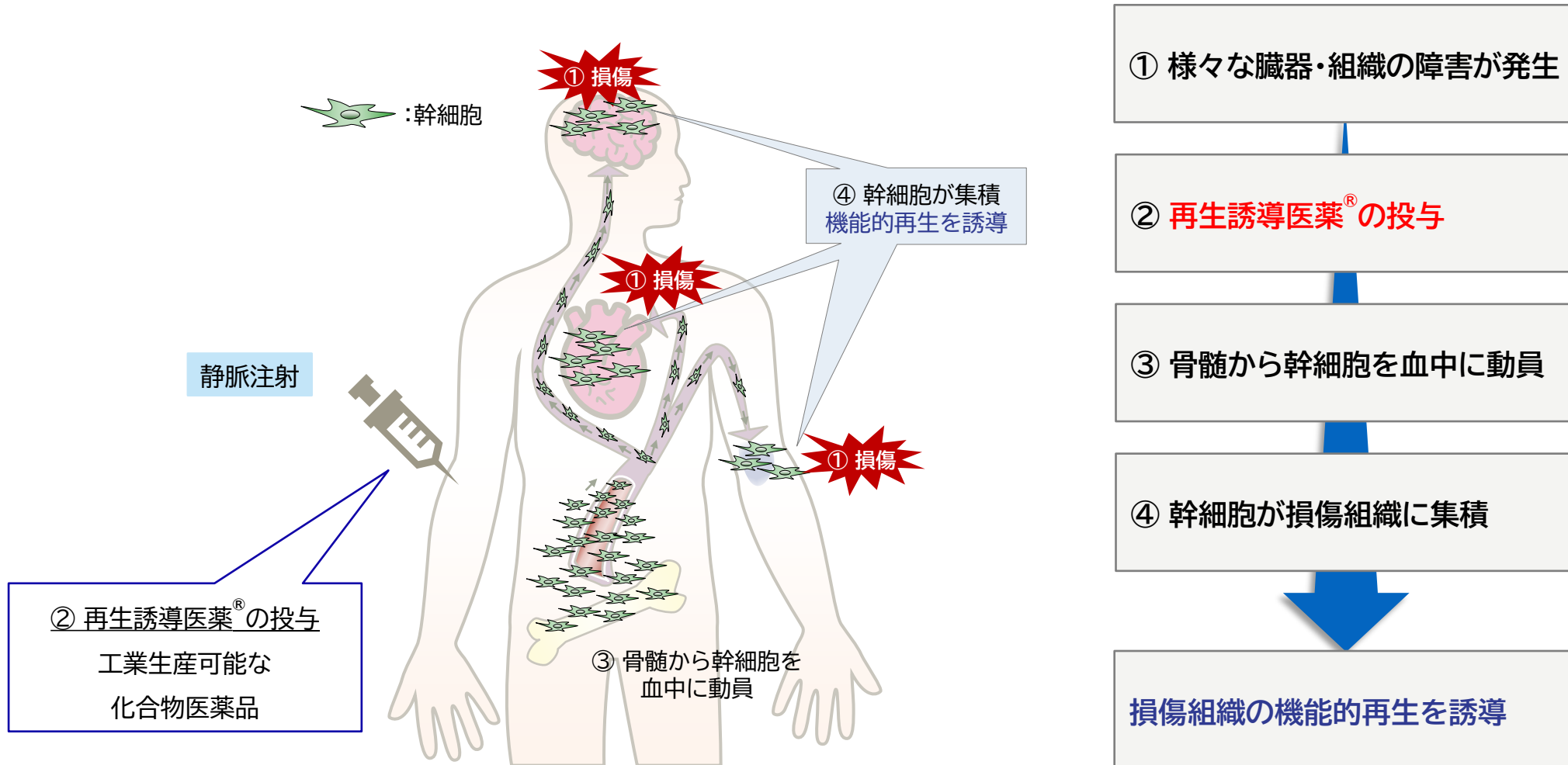
再生誘導医学協働研究所

- ・基礎研究から臨床研究まで一貫して推進
- ・国内外の他大学・研究機関とのコラボレーション



2. 再生誘導医薬[®]コンセプト

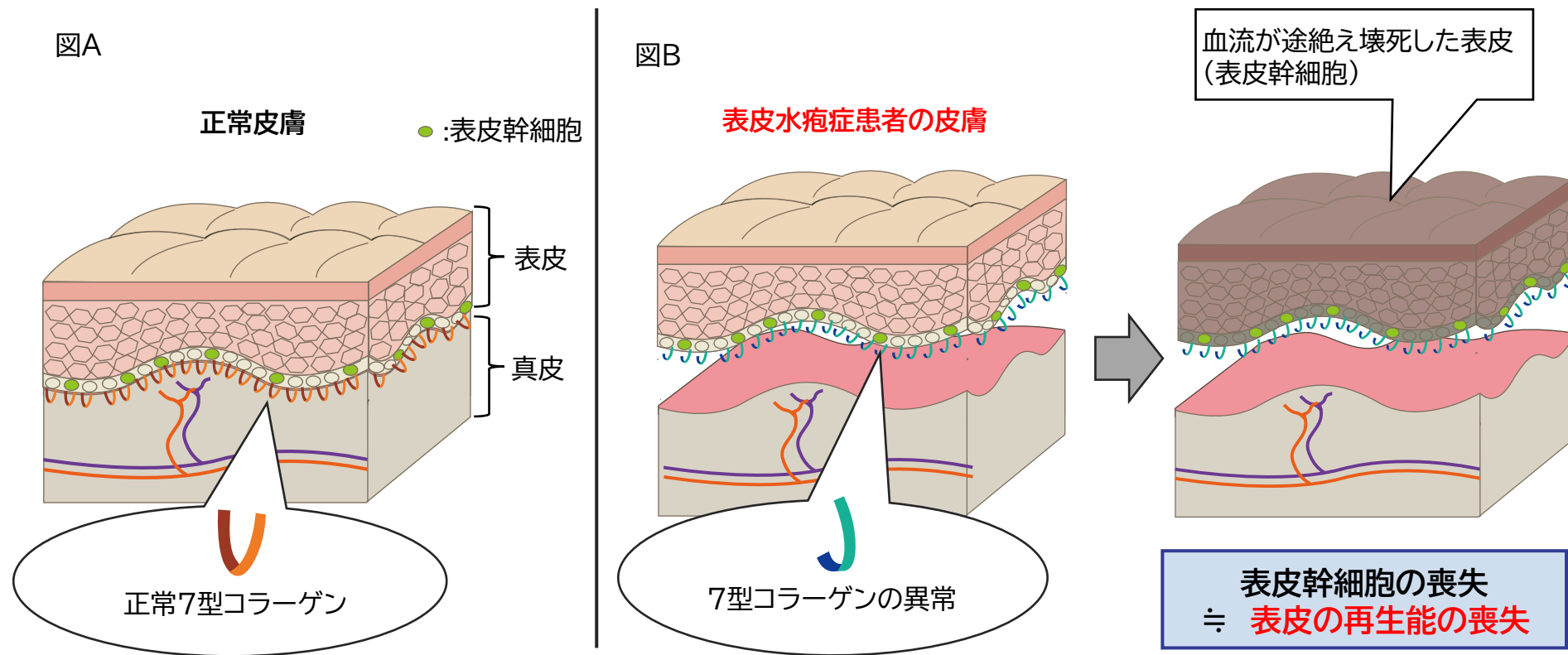
再生誘導医薬[®]の静脈投与により血中に動員された生体内間葉系幹細胞が体内の損傷組織に集積し機能的再生を誘導



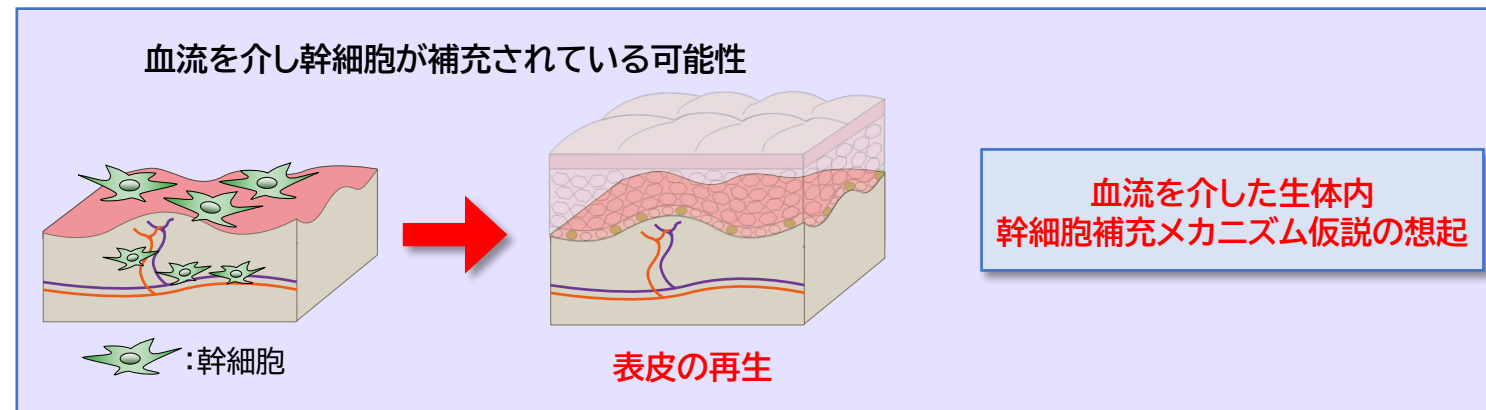
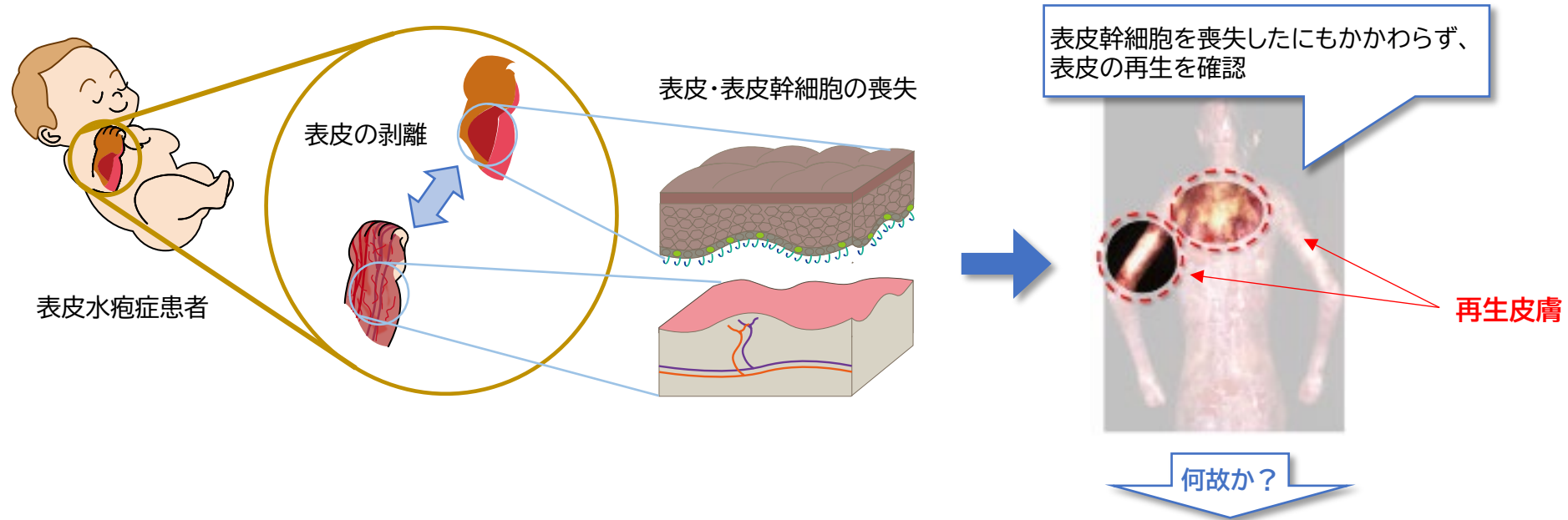
ひょうひすいほうしょう

・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が、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。

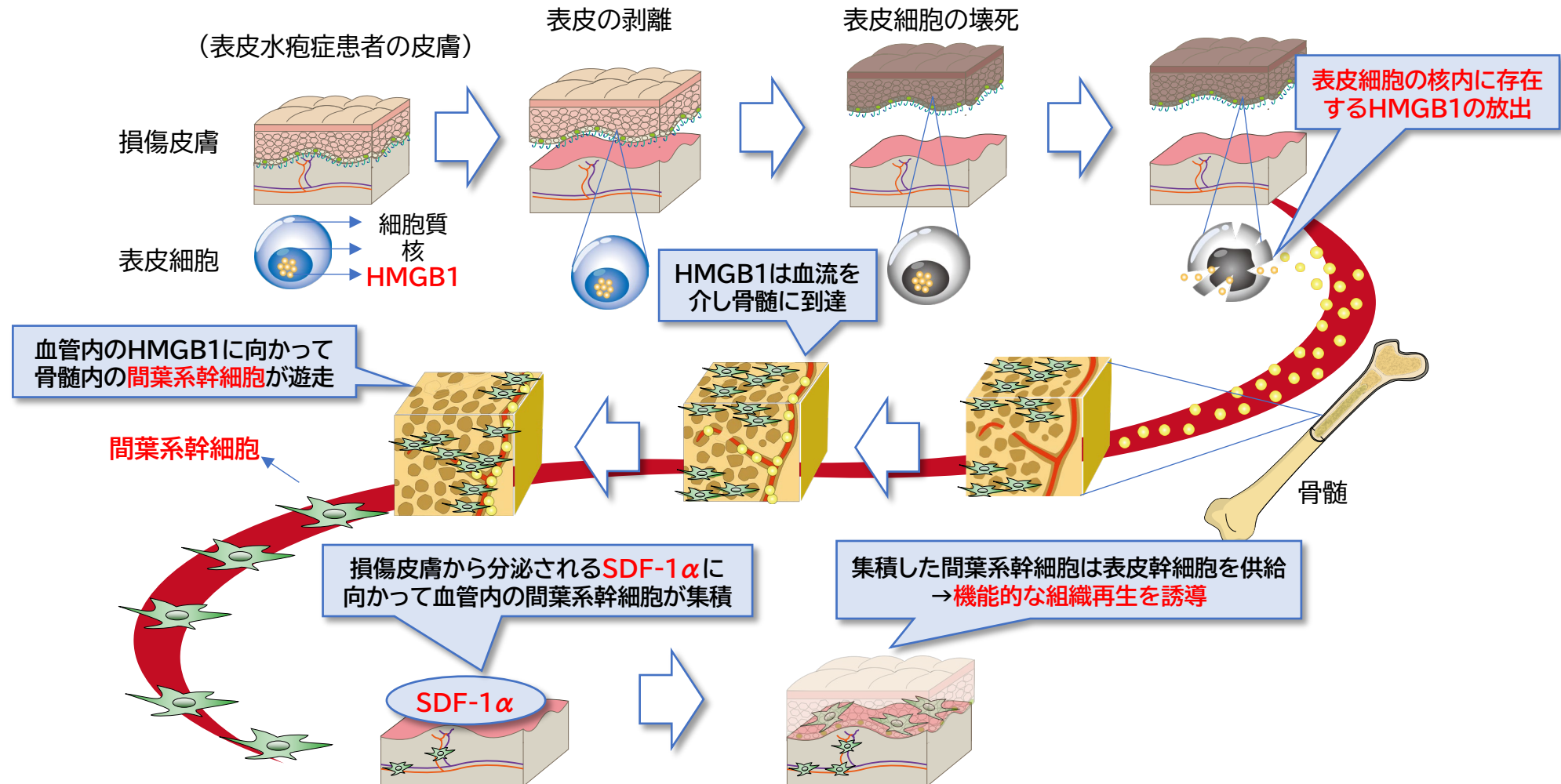


「再生誘導医薬[®]」開発の発端は、骨髄から血液を介した皮膚への幹細胞補充メカニズム仮説の想起



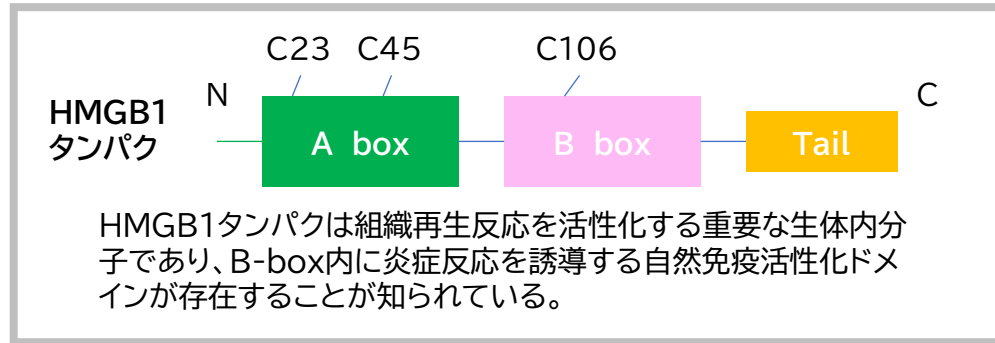
参考文献：
医学のあゆみ Vol.265 No.5 463-468;2018
皮膚病診療:41(1);7-12,2019
写真提供:大阪大学

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



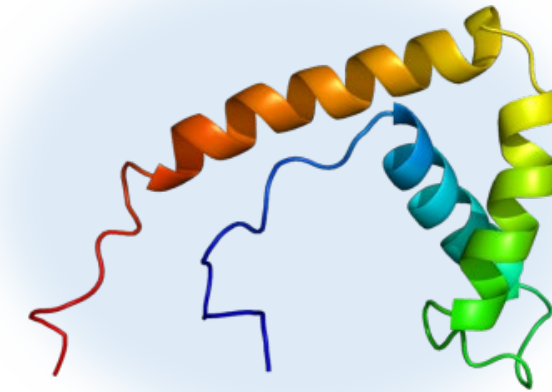
タンパク内ドメインの機能を特定



創業者/ファウンダー
玉井 克人 氏

「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



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。

参考文献:
J Intern Med. 2004 Mar ;255(3):351-66.

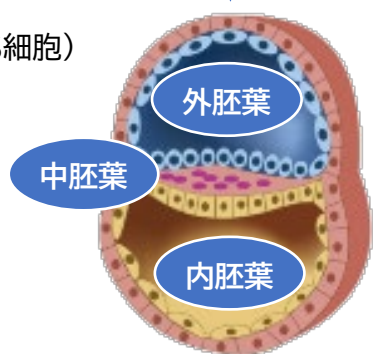
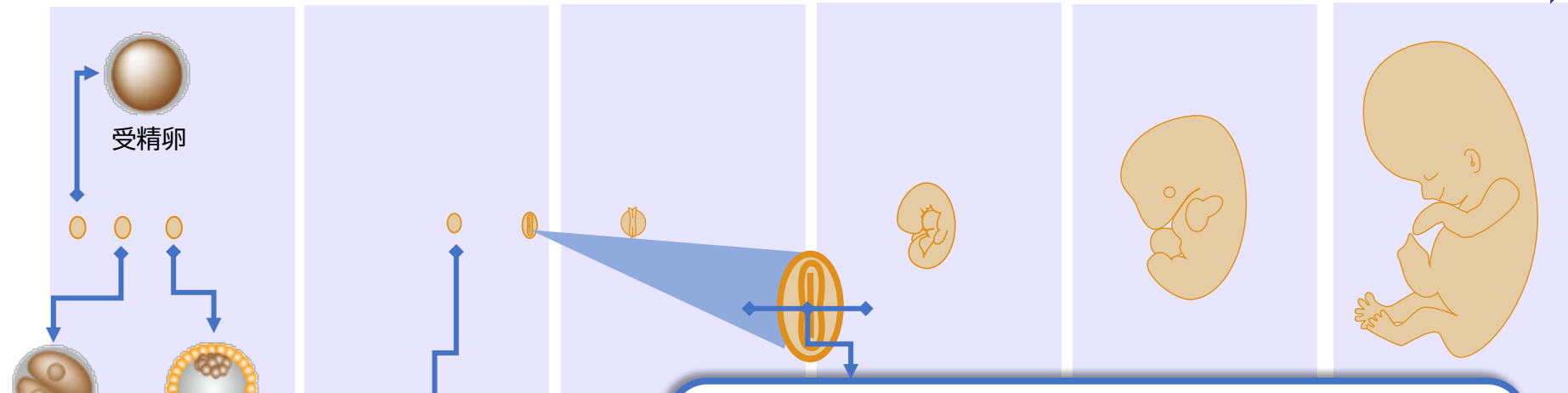
3. 再生誘導医薬[®]の優位性

3. 再生誘導医薬[®]の優位性 適応症の拡大余地

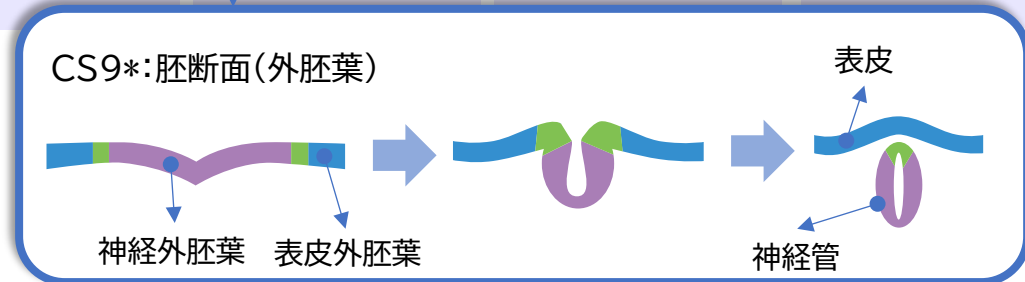
ヒト発生期における表皮の形成

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



17日齢胚子

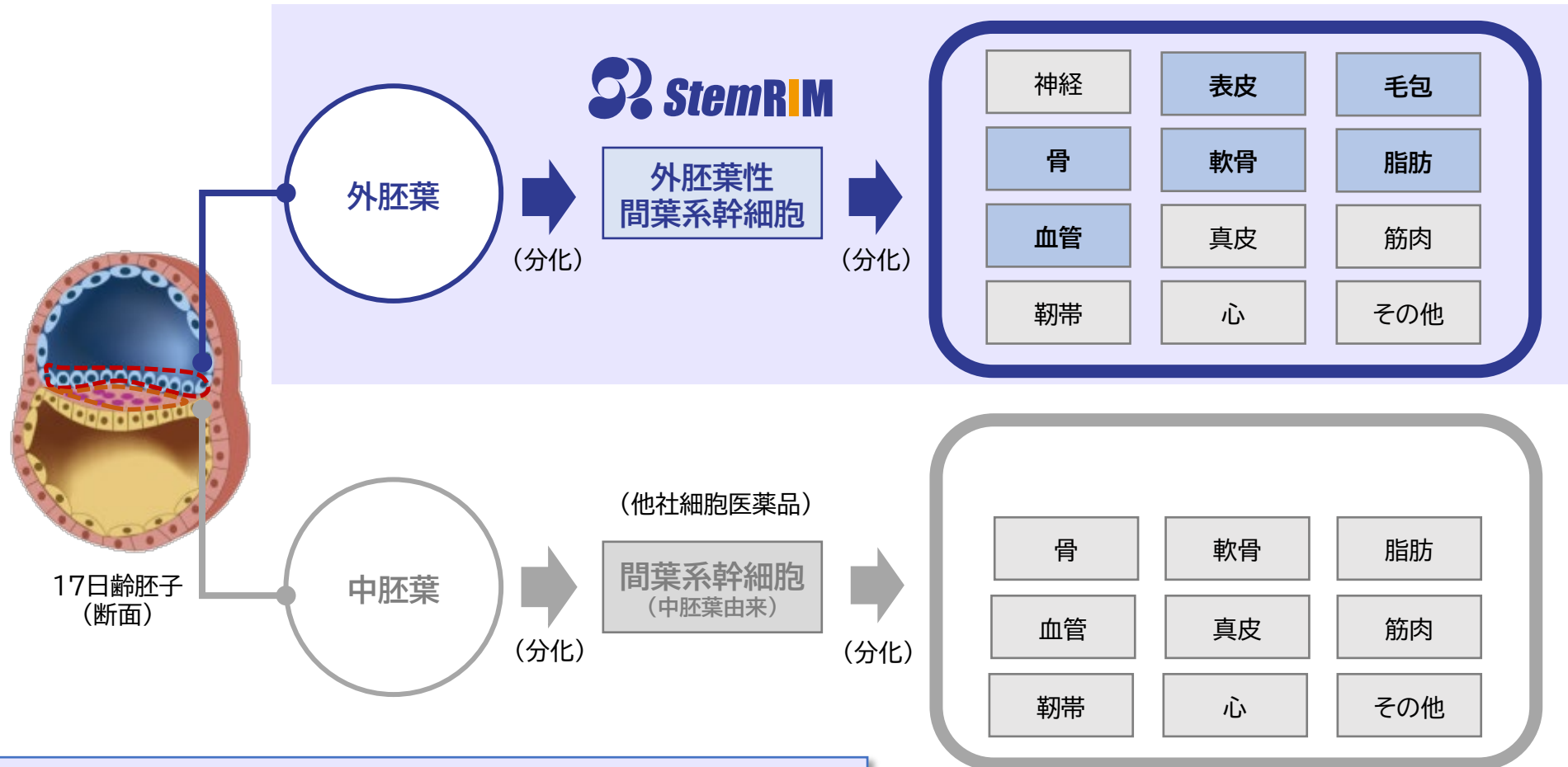


受精卵は発生の過程で「外胚葉」「中胚葉」「内胚葉」に分かれる。表皮を形成するのは「外胚葉」であるため、再生誘導医薬[®]で誘導されるのは**外胚葉性由来の間葉系幹細胞**である。

*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

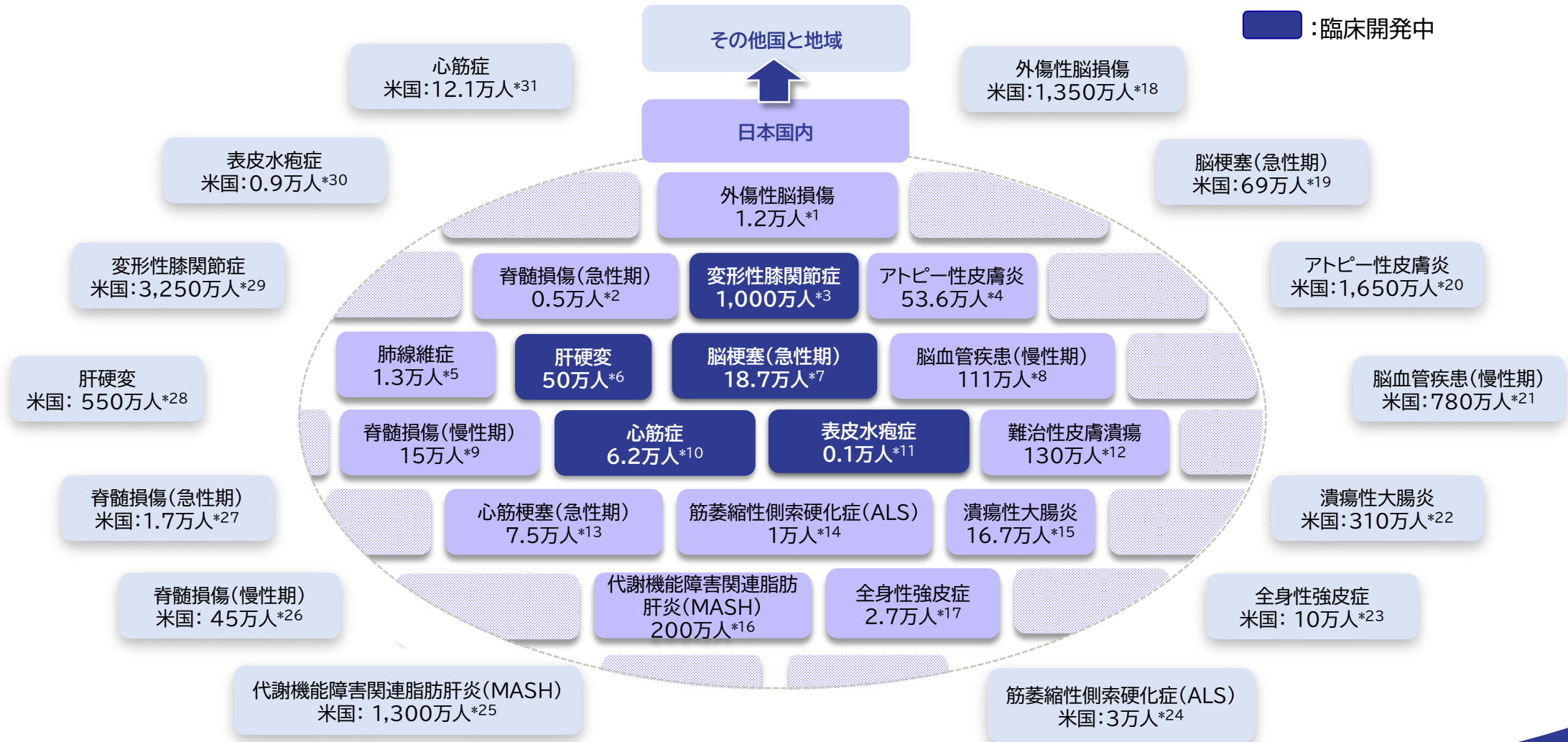


外胚葉性間葉系幹細胞は高い多能性を有しており、他社の細胞医薬品が用いている「中胚葉性由来の間葉系幹細胞」で分化ができない**表皮、毛包、神経**への分化が発生学的に可能であると考えられている。

■ 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
 ■ 発生学的に分化すると考えられている組織

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

■ : 臨床開発中



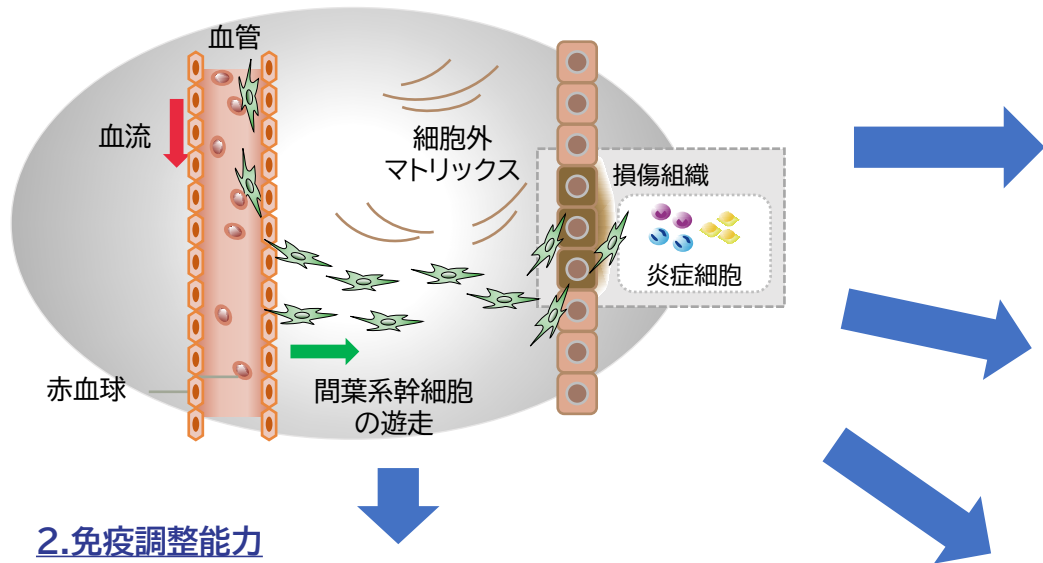
<参考文献>

- *1:厚生労働省 令和2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 令和2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より当社にて算定
- *8:日本生活習慣病予防協会
- *9:日本脊髄障害医学会
- *10:心筋症ガイドライン2018
- *11:難病情報センター「表皮水疱症」より
- *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 令和2年患者調査「急性心筋梗塞」の患者数
- *14:難病情報センター「筋萎縮性側索硬化症(ALS)」より
- *15:難病情報センター「潰瘍性大腸炎」より
- *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: American Liver Foundation
- *26: American Association of Neurological Surgeons
- *27: American Association of Neurological Surgeons
- *28: American College of Gastroenterology
- *29: Centers for Disease Control and Prevention
- *30: Stanford University School of Medicine
- *31: National Library of Medicine : Dilated cardiomyopathy

生体内間葉系幹細胞は5つの特徴的な能力を有する

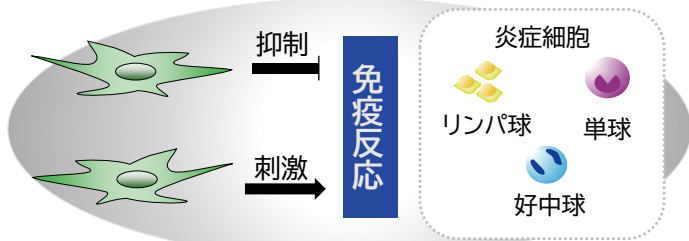
1.細胞遊走能力

間葉系幹細胞は血流を介し損傷組織まで遊走(移動)する。



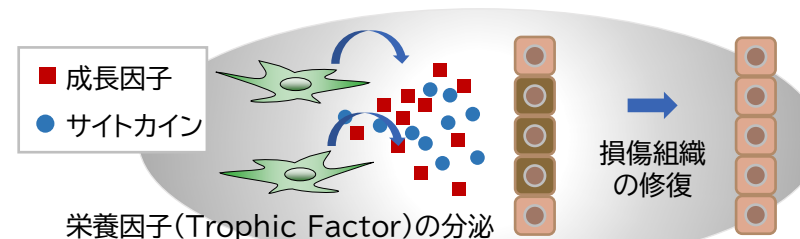
2.免疫調整能力

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。



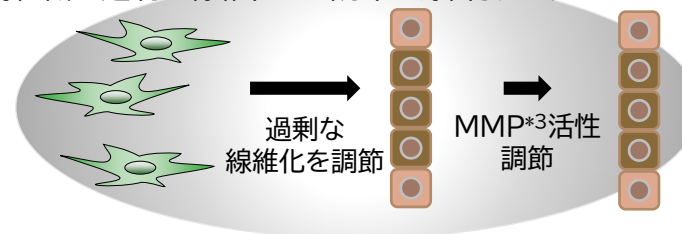
3.トロフィック能力

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。



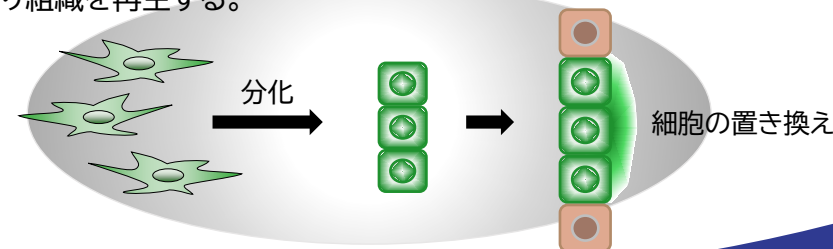
4.線維化調節能力

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。



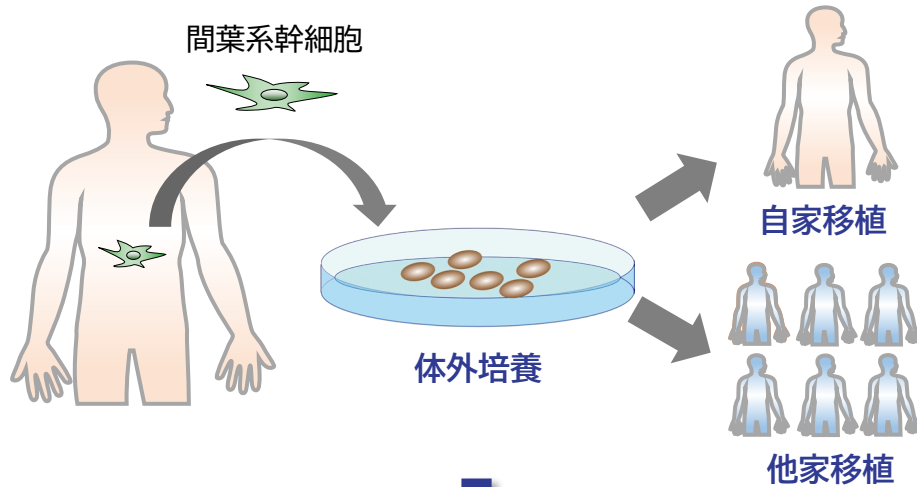
*1:細胞から分泌される低分子のタンパク質で生理活性物質の総称。細胞間相互作用に関与し周囲の細胞に影響を与える。

*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 metalloproteases)。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。

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

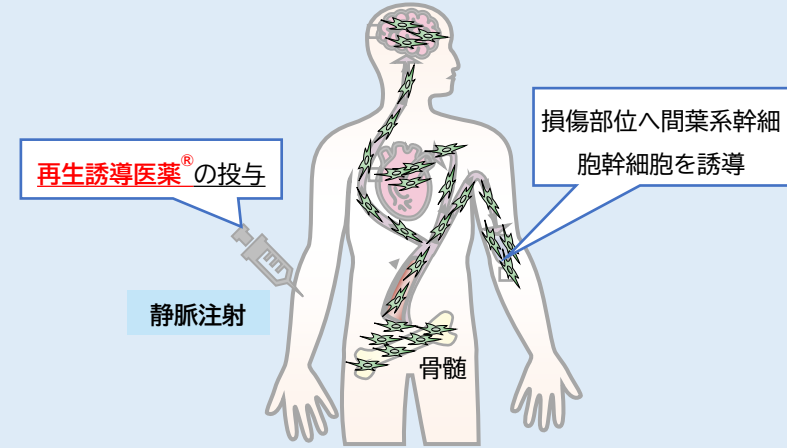


間葉系幹細胞は、生体外で培養される過程で
間葉系幹細胞としての機能を喪失

(出所) Stem Cell Research & Therapy 2018, 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

再生誘導医薬[®]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

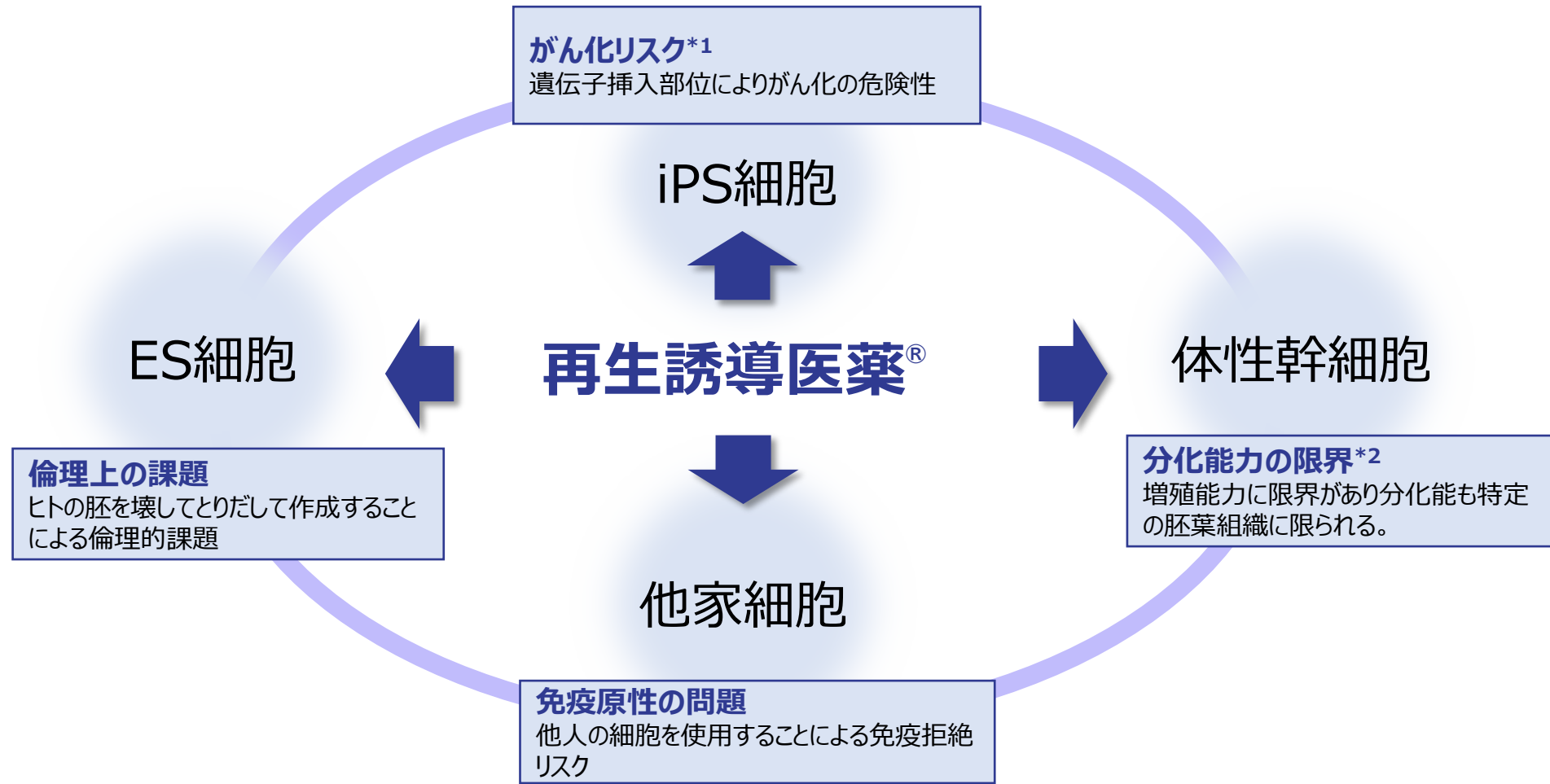
グローバルに再生誘導医薬[®]を普及させていく

*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

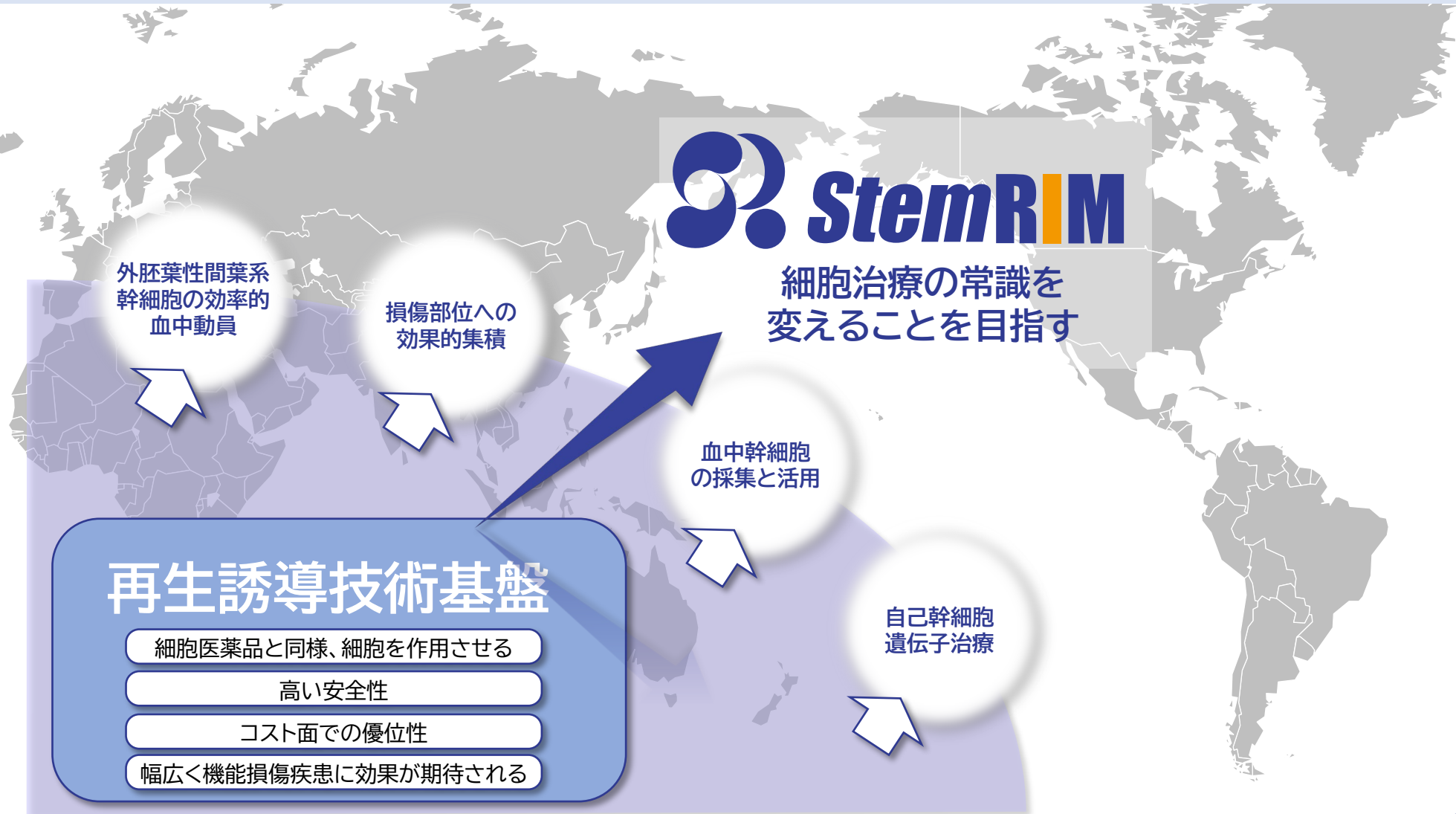
再生誘導医薬[®]は従来型の細胞治療の最大の4つの課題を解決可能



*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



4. 事業領域およびパイプラインの進捗状況

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					*	塩野義製薬 (S-005151)
		脳梗塞 (急性期)	塩野義製薬	グローバル後期第Ⅱ相試験 実施中						
		虚血性心筋症	大阪大学	医師主導第Ⅱ相試験 実施中						
		変形性膝関節症	弘前大学	医師主導第Ⅱ相試験 完了						
		慢性肝疾患	新潟大学	医師主導第Ⅱ相試験 完了						
PJ2	-01	全身投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM3)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	非臨床					-
	-02	全身投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM4)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	非臨床					-
PJ3	局所投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM5)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	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	自社 (提携予定)	非臨床			ND			-
PJ5	幹細胞遺伝子治療 (SR-GT1)	表皮水疱症	自社 (提携予定)	治験準備中			第Ⅰ/Ⅱ相試験	なし		-

*: 対象となる栄養障害型表皮水疱症の患者数は、全国に400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。

4. 事業領域およびパイプラインの進捗状況

開発パイプラインにおける1年間の進捗状況



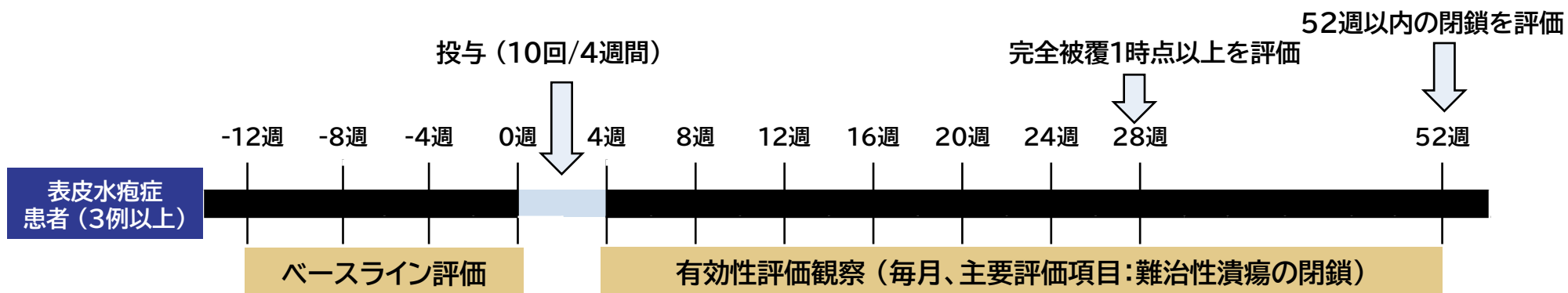
開発コード	内容	適応症	開発主体	進捗状況 (2024年10月現在)	(参考)2023年10月31日開示 「事業計画及び成長可能性に関する事項」 より
PJ1	HMGB1の骨髄間葉系幹細胞 動員活性ドメインペプチド (HMGB1ペプチド) 一般名:レダセムチド	表皮水疱症	塩野義製薬	追加第Ⅱ相試験実施中	追加第Ⅱ相試験実施中
		脳梗塞 (急性期)	塩野義製薬	グローバル後期第Ⅱ相試験実施中	グローバル後期第Ⅱ相試験実施中
		虚血性心筋症	大阪大学	医師主導第Ⅱ相試験開始 (2024年3月)	医師主導第Ⅱ相試験準備中
		変形性膝関節症	弘前大学	医師主導第Ⅱ相試験完了	医師主導第Ⅱ相試験完了
		慢性肝疾患	新潟大学	医師主導第Ⅱ相試験完了	医師主導第Ⅱ相試験完了
PJ2	全身投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM3)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	非臨床	非臨床
	全身投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM4)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	非臨床	非臨床
PJ3	局所投与型再生誘導医薬 新規ペプチド(TRIM5)	複数の 組織損傷疾患	自社 (提携予定)	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	自社 (提携予定)	非臨床	非臨床
PJ5	幹細胞遺伝子治療 (SR-GT1)	表皮水疱症	自社 (提携予定)	治験準備中	治験準備中

(更新情報は赤字で表記)

PJ1-01: 栄養障害型表皮水疱症 追加第II相臨床試験



追加第II相臨床試験プロトコル	
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の評価
治験デザイン	単群、多施設共同、非盲検、非対照
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



オーファンドラッグ指定

2023年5月、厚生労働省よりレダセムチドを栄養障害型表皮水疱症を対象とした希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)として指定。栄養障害型表皮水疱症に対して有効である可能性及び開発計画の妥当性について、厚生労働省から一定の評価を受けたことに。優先審査制度の対象となることで審査期間の短縮による早期の承認取得が期待される。

現在の進捗状況
2023年2月 第一例目への薬剤投与

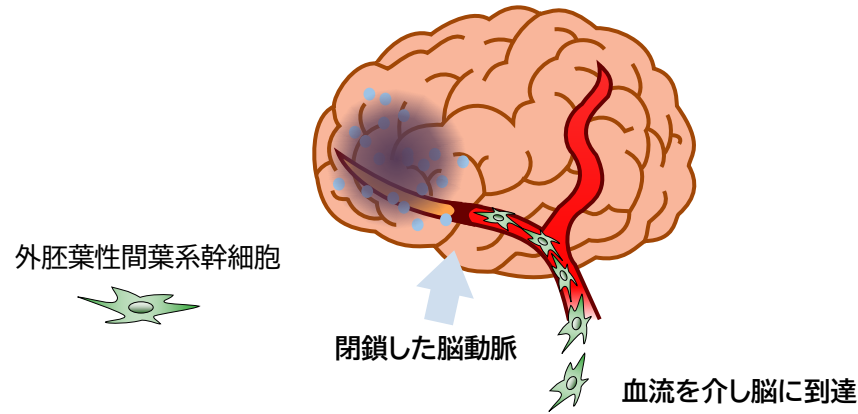
(出所)
 ・臨床研究等提出・公開システム(jCRT) jRCT2031220378
 ・2022年10月12日付 塩野義製薬「SHIONOGI R&D Day 2022」説明資料

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)

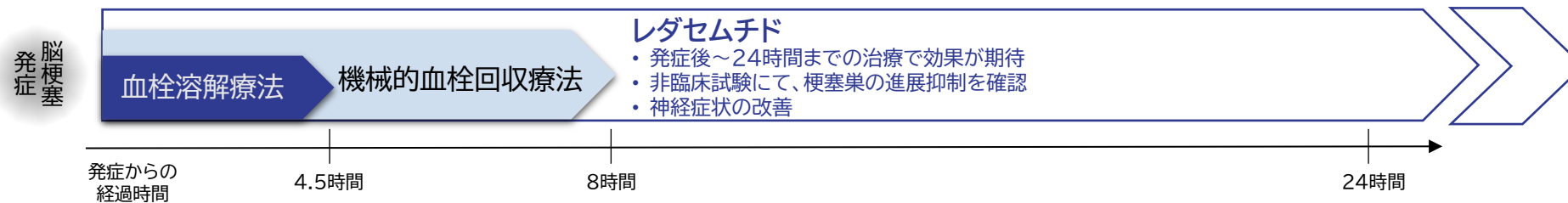
約18.7万人



※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

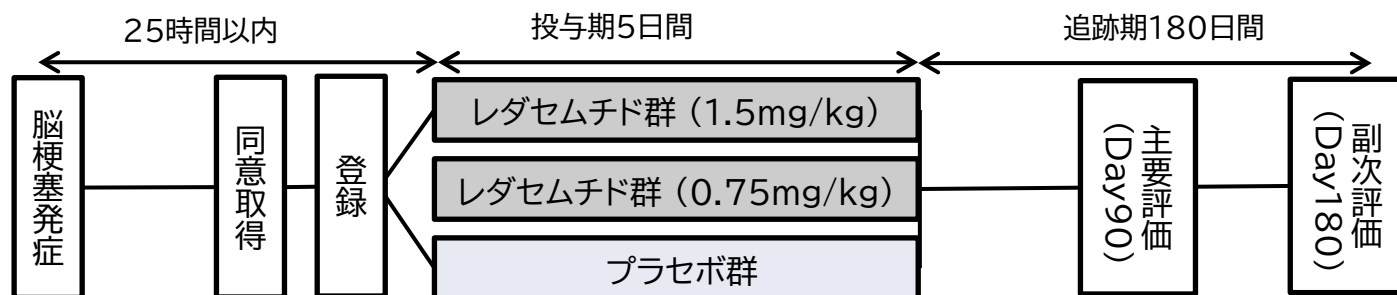
機械的血栓回収療法:カテーテル・血栓回収デバイスを用いて血栓を回収する治療法

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

PJ1-02:急性期脳梗塞 グローバル後期第II相試験



グローバル後期第II相臨床試験プロトコル	
目的	急性期脳梗塞患者に対するレダセムチドの有効性、安全性及び忍容性の評価
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 ・ベースラインのNIHSSスコア*が8以上22以下 ・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、レダセムチド (0.75mg/kg) 群、プラセボ群 合計627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	投与開始90日後のmRS
実施国	日本、欧州、北米、中国 等



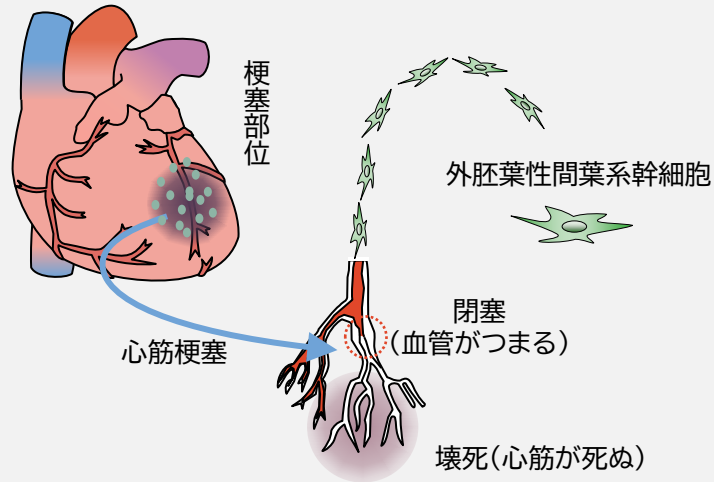
現在の進捗状況

2023年4月より日本及び北米にて、7月に欧州及び中国においてグローバル後期第II相試験実施中

*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)

(出所)<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031230083>
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT05953480>

虚血性心筋症



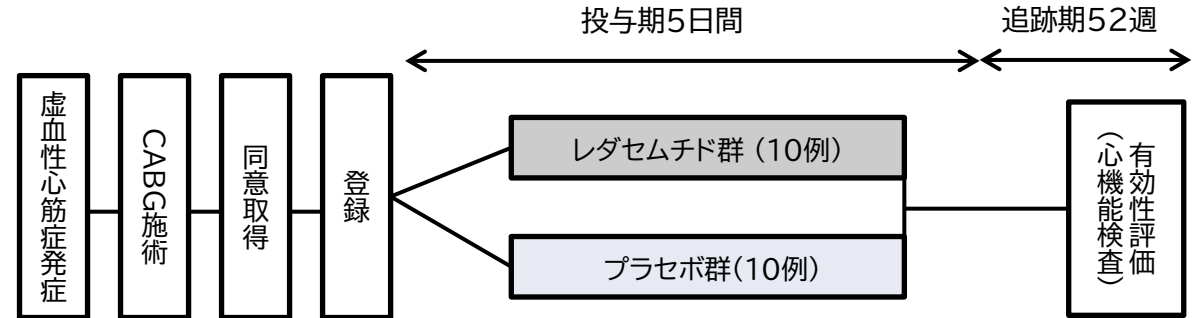
虚血性心筋症におけるレダセムチドの作用機序

- ✓ 心筋線維化の抑制効果を確認
- ✓ VEGF^{*1}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^{*2}の抑制

*1 VEGF (vascular endothelial growth factor; 血管内皮細胞増殖因子): 血管新生を促すタンパク質。VEGFが血管内皮細胞に作用すると、細胞の分裂や遊走、分化などを誘導し、その結果、既存の血管から枝分かれした新たな血管が形成される。
 *2 心室リモデリング: 圧力や容積など血行力学的な負荷や心筋虚血などのストレスが心臓にかかった場合に、心臓の働きの恒常性を保つために代償的に心臓の構造が変化すること
 *3 冠動脈バイパス手術 (coronary artery bypass grafting; CABG): 冠動脈の閉塞箇所を迂回し、新たな血管 (バイパス) を設ける手術。

第II相臨床試験プロトコル

目的	虚血性心筋症患者に対するレダセムチドの安全性及び忍容性の評価
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
対象	冠動脈バイパス手術 ^{*3} (CABG)を施行した虚血性心筋症患者
投与群、症例数	レダセムチド群:10例、プラセボ群:10例
投与方法、期間	静脈内投与、5日間
有効性評価項目	投与52週後の心エコーなどによる各種心機能検査



現在の進捗状況

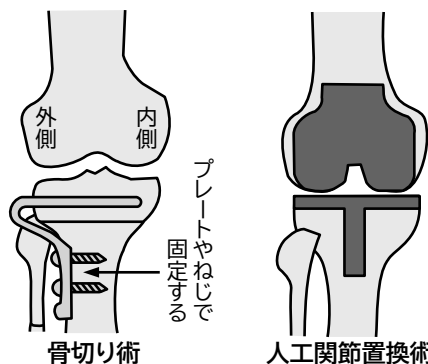
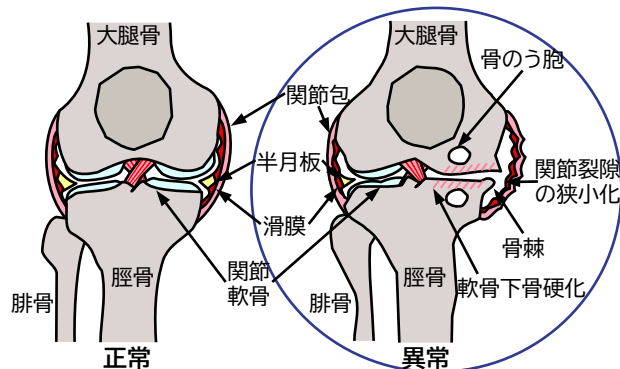
2024年3月 第II相医師主導治験の開始

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)

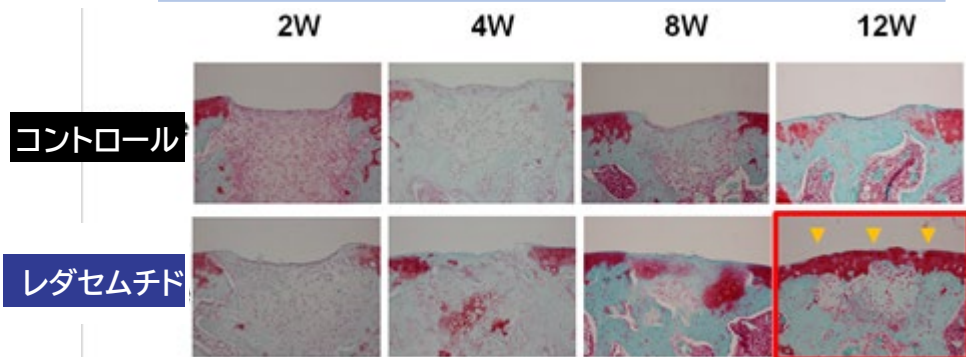
自覚症状を有する患者数:約800万人
潜在患者数:約2,500万人

※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

サフランニン-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

PJ1-04:変形性膝関節症 医師主導第Ⅱ相治験(終了済)

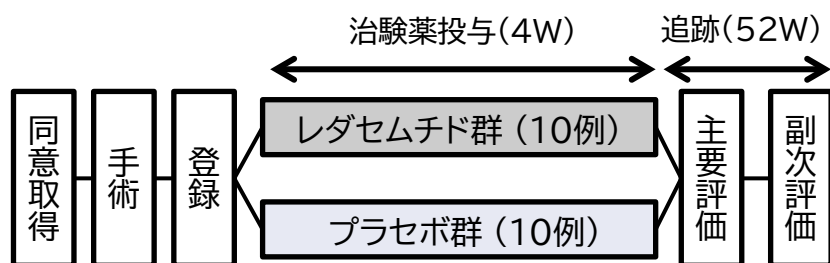


医師主導第Ⅱ相治験プロトコル	
目的	変形性膝関節症に対する有効性、安全性の検討
対象	高位脛骨骨切り術*及び鏡視下マイクロフラクチャー**を実施した変形性膝関節症患者(20歳以上70歳未満の男女)
治験デザイン	単一施設、無作為化、プラセボ対照、二重盲検
投与群、症例数	レダセムチド(1.5 mg/kg) 群:10例 プラセボ群:10例 合計20例
投与方法	90分間点滴静注、8回投与[2日間/週(3-4日に1回)×4週間]
主要評価項目	有害事象の有無及び発現割合
副次評価項目	形態学的評価(MRI撮像などによる評価)及び機能評価(KOOS***などの各評価指標による評価)



治験結果

- ▶ 安全性評価
重篤な有害事象及びレダセムチドとの関連性が認められると判定された副作用は認められず、変形性膝関節症を対象とする**レダセムチド投与時の安全性について確認**された。
- ▶ 形態学的評価、機能評価
変形性膝関節症の根本的な原因の一つである軟骨の損傷部位の形態学的評価としてMRI撮像を行ったところ、投与開始後52週時点の大腿骨内側顆軟骨欠損面積率の変化量(中央値)はプラセボ群で-3.5%であったのに対し、レダセムチド群では-7.5%であり、**レダセムチド群でより欠損部位が縮小した傾向**。専門医師による内視鏡での肉眼観察においても、**良好な軟骨再生の所見がレダセムチド群では5例に認められる**(プラセボ群では2例)。



現在の進捗状況

医師主導第Ⅱ相臨床試験の良好な結果を経て今後の開発方針を検討中

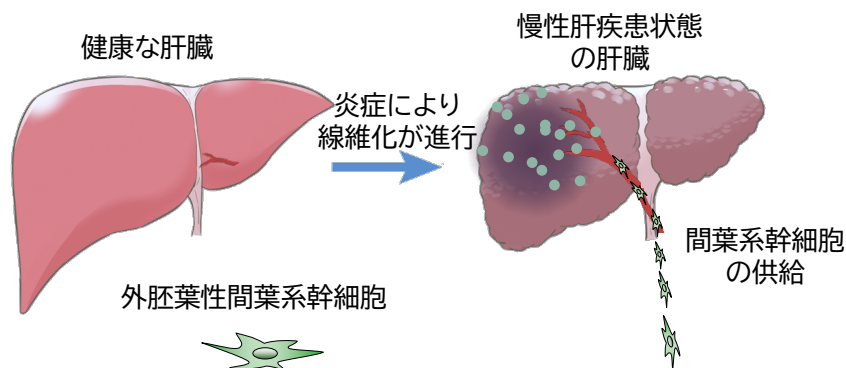
*高位脛骨骨切り術:すねの骨(脛骨)を切ることで脛骨関節面の傾きを変化させ、内反変形し膝の内側にかかる荷重を、正常な軟骨や半月板が残っている外側の関節に移動させる手術
 **鏡視下マイクロフラクチャー:軟骨損傷部の母床の軟骨下骨に小さな孔をあけることで損傷部に血液と骨髓液の流出を促し、骨髓に含まれる間葉系幹細胞を誘導して損傷部を修復させる治療法
 ***KOOS=Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score:膝関節損傷と変形性関節症の転帰をはかるスコアの一つ

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

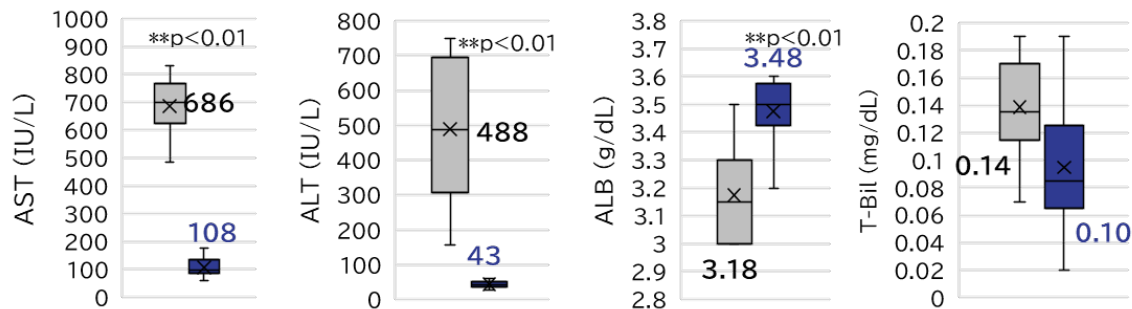
※令和4年肝がん白書より



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

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



■ Control: n=8
■ レダセムチド: n=8
図中の数字は平均値を示す

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。



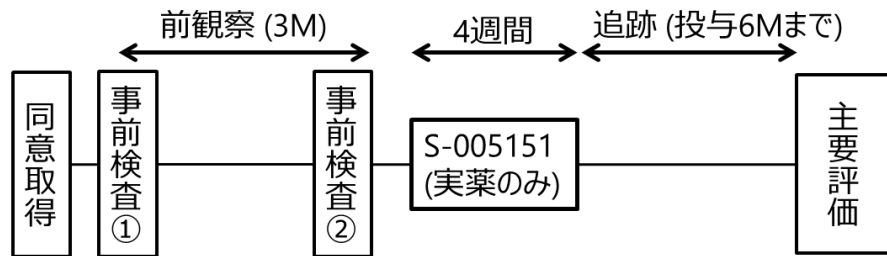
工業的に生産可能なレダセムチドは、医薬品の投与による慢性肝疾患の根本治療が期待される

医師主導第Ⅱ相治験プロトコル	
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、症例数	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	レダセムチド1.5mg/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



治験結果

- ▶ **安全性評価:**有害事象の有無及び発現割合
 2例で治験薬との因果関係が否定できない有害事象(発声障害、発熱)が発現したが、いずれも軽度で回復。1例は重篤有害事象(肝生検実施時の出血)が発現したが、処置なく回復し、治験薬との因果関係は否定。
 以上から慢性肝疾患を対象とする**レダセムチド投与時の忍容性について確認**された。
- ▶ **有効性評価:**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
 コホートA(5例)の投与開始78日後及び162日後において、**MRエラストグラフィを指標とした肝硬度の改善傾向が認められた(投与開始前と比較して平均12%及び8%の減少率)**。また、MRエラストグラフィによる肝硬度の改善だけでなく、他の線維化指標(線維化インデックス、線維化マーカー、modified HAIのFibrosis stage値)も随伴して改善傾向を示す症例が複数例認められた。これら各種有効性評価指標結果をふまえた治験責任医師による総合評価では、**コホートAでは5例中3例(60%)、コホートBでは5例中2例(40%)で肝線維化の改善傾向が示唆**されたと考察される。



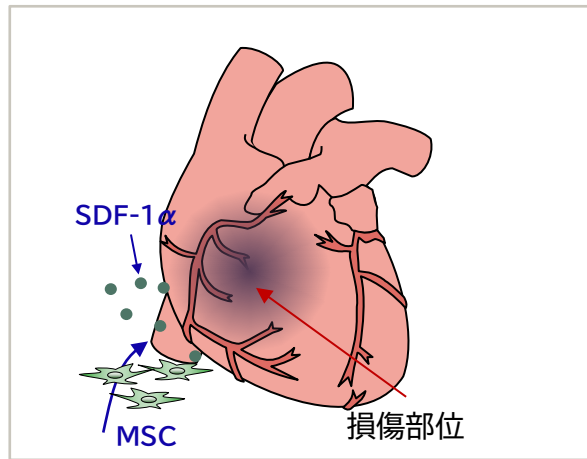
現在の進捗状況

医師主導第Ⅱ相臨床試験の良好な結果を経て今後の開発方針を検討中

*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
 (出所)臨床研究実施計画・研究概要公開システム(<https://jrct.niph.go.jp/>)

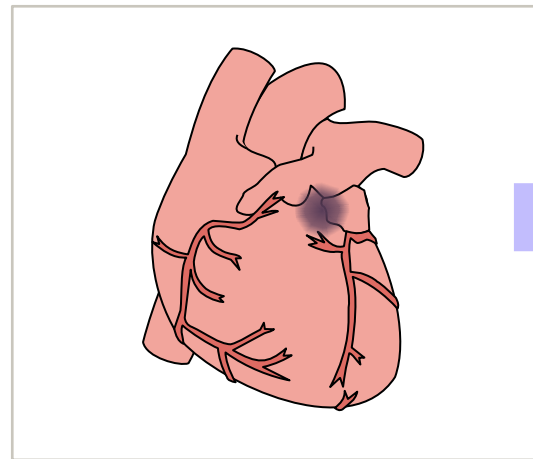
損傷部位に間葉系幹細胞を集積させるペプチド製剤を開発中

損傷部位が大きい場合



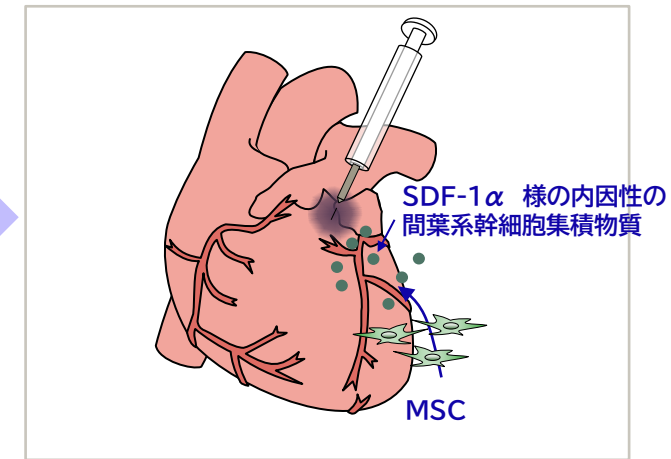
- 損傷部位が大きい場合、血中に動員された間葉系幹細胞を集積させるSDF1-aが放出されている
- =PJ1,2のような作用機序が有効

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

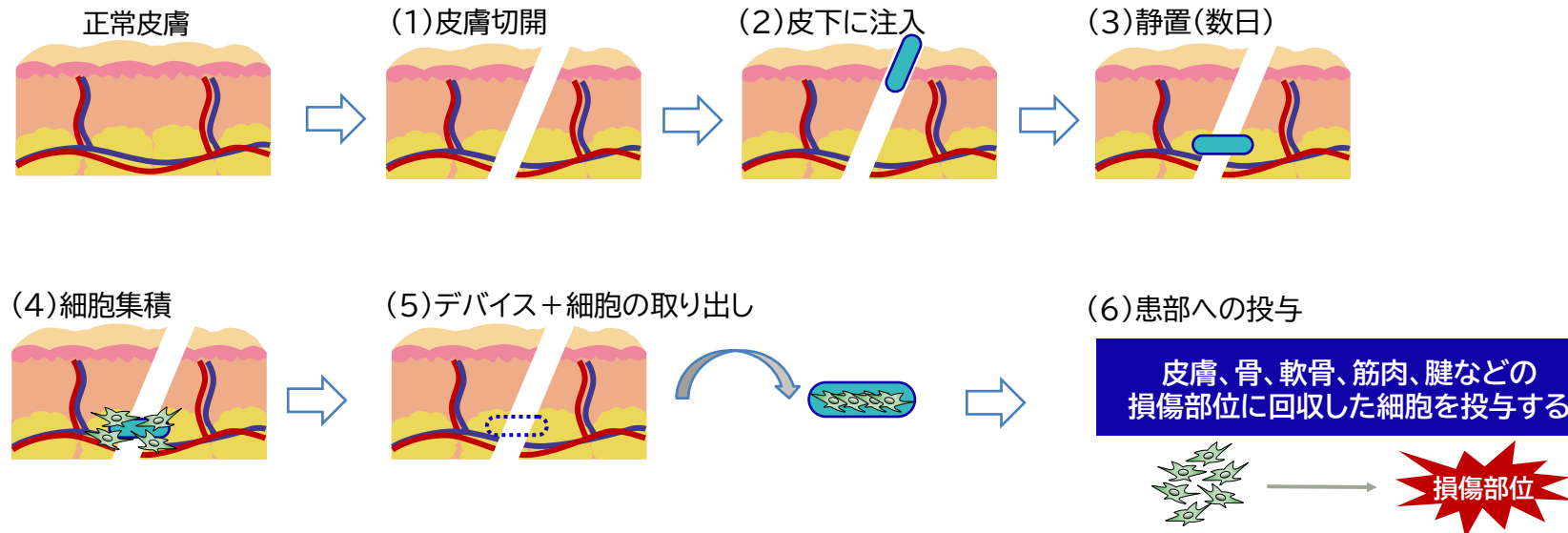
損傷部位への局所投与により、効率よく
生体内間葉系幹細胞を集積させる



- 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

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

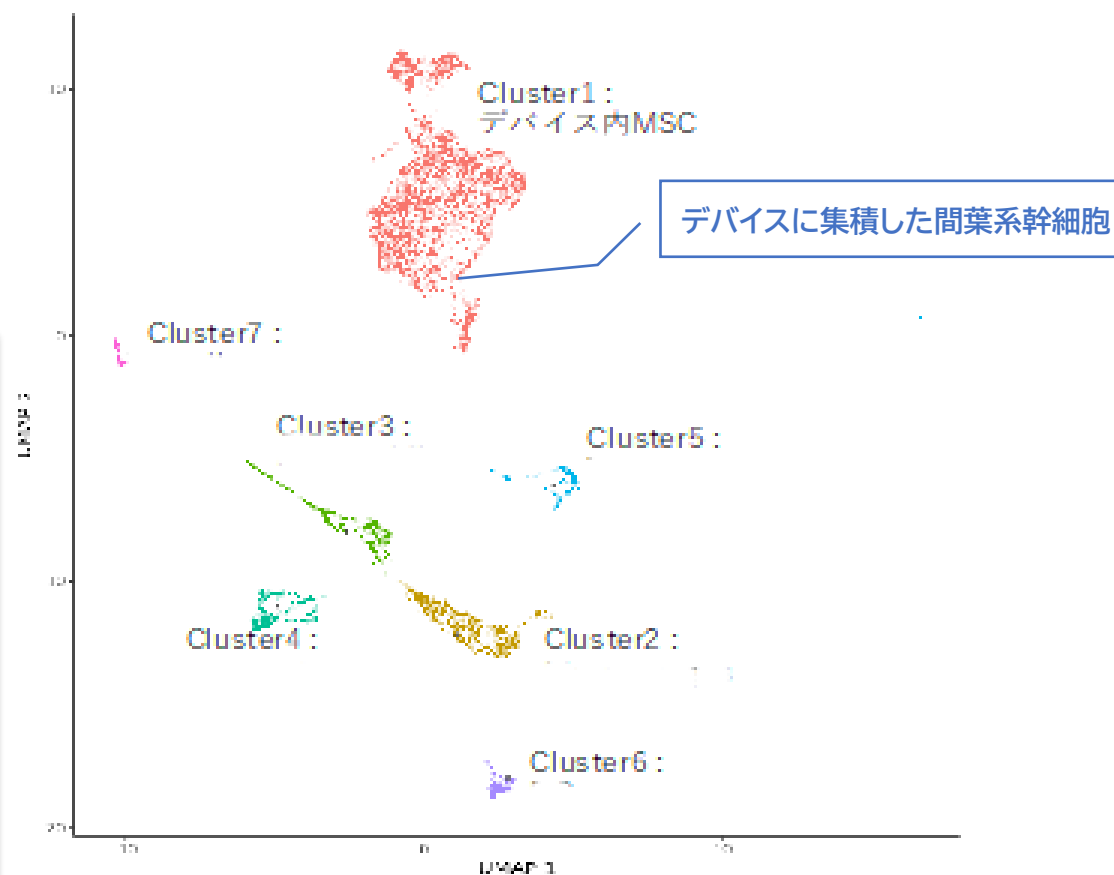


- ✓ これまでの動物実験で当デバイスが良好な幹細胞回収能力を有することを確認
- ✓ 数種類の疾患モデル動物による薬効試験によって、最適な適応症の選定
- ✓ 臨床試験の開始までに必要となる非臨床試験を実施

ラットモデルにおいて間葉系幹細胞の採取を確認

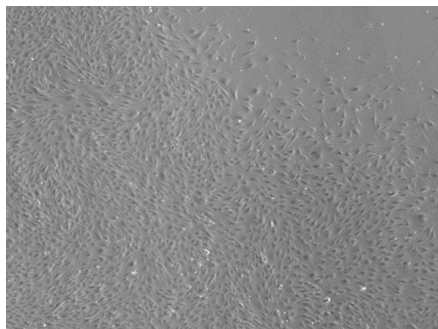


デバイスに集積した細胞に対する
次世代シーケンサーによるシングルセルトランスクリプトーム解析



細胞採取後のデバイス

集積した細胞の塊



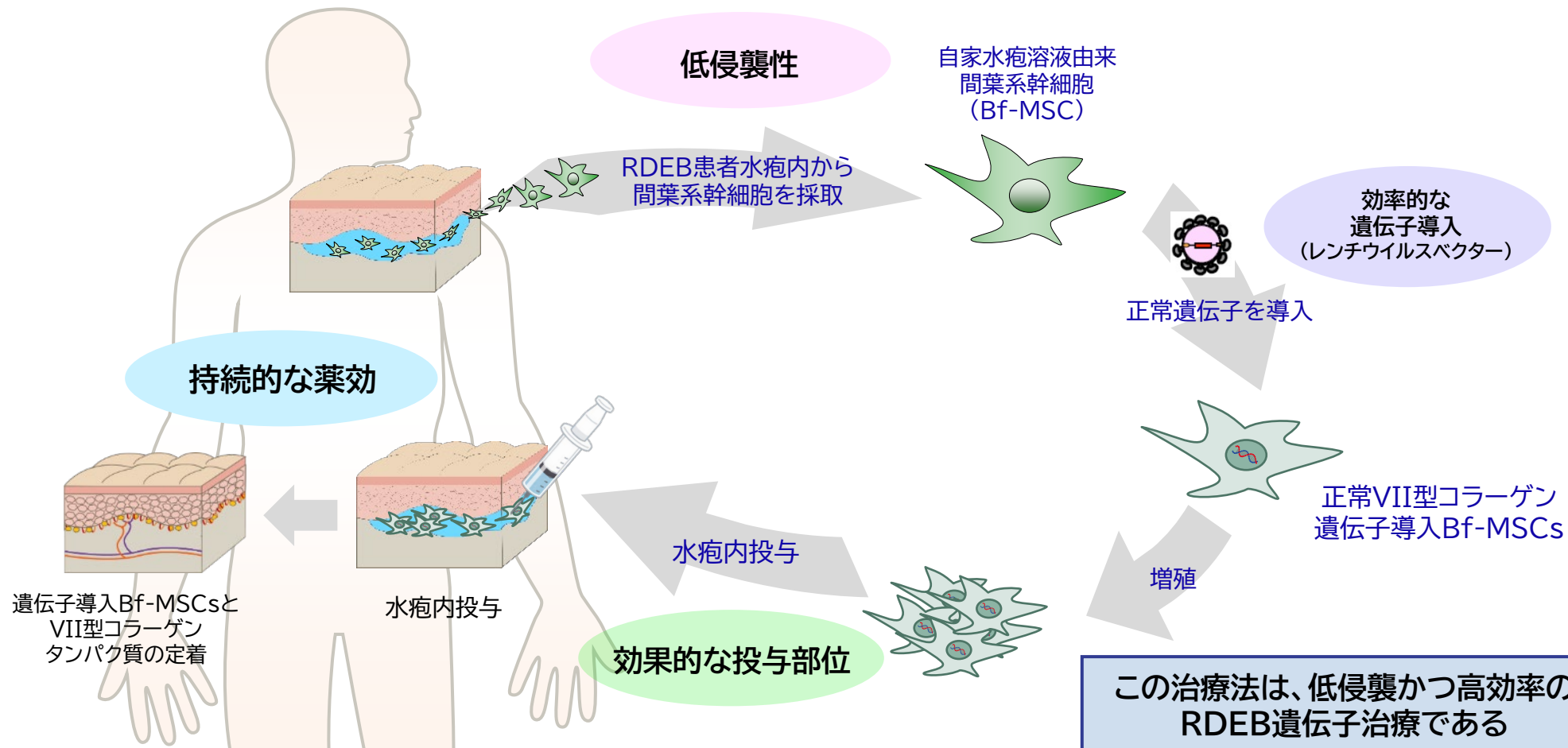
集積細胞の培養によるMSC様細胞の存在確認

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

水疱由来の自己間葉系幹細胞(Bf-MSCs)に正常なVII型コラーゲン遺伝子を導入し、患者の水疱内に投与することで、劣性栄養障害型表皮水疱症(RDEB)のEx vivo*遺伝子治療を行う



*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)

他社製品と比較して低侵襲かつ高効率のRDEB遺伝子治療を開発

企業	in/ex vivo	対象細胞	投与経路	StemRIMとの比較			
				治療部位	患者負担	薬効持続期間	薬効
	ex vivo*1	間葉系幹細胞 (Bf-MSCs)	水疱内投与	非潰瘍面	低	長期間 (持続的)	高
Krystal Biotech	in vivo*2	-	局所塗布	潰瘍面	低	長期間 (限定的)	高
Abeona Therapeutics	ex vivo	表皮角化細胞	表皮シート移植	潰瘍面	高	長期間 (限定的)	高
Castle Creek Biosciences	ex vivo	皮膚線維芽細胞	皮内投与	潰瘍面	高	長期間 (限定的)	低
Amryt Pharma	in vivo	-	静脈投与	全身性	低	短期間	高

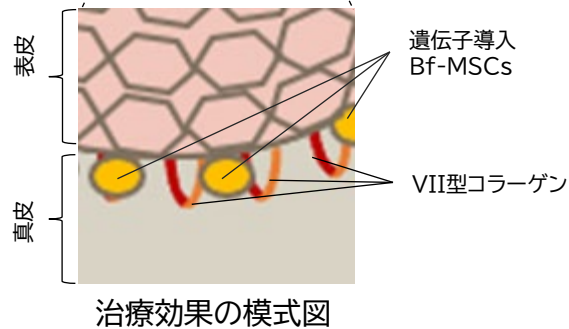
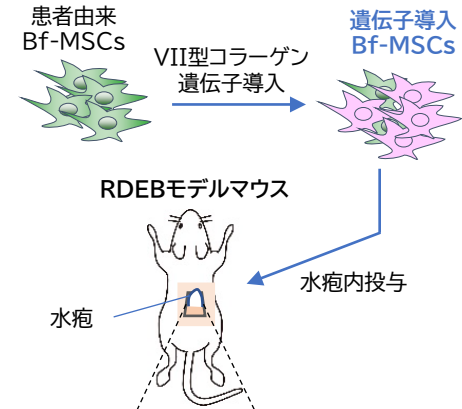
*1: 患者細胞を体外に取り出してから目的遺伝子を導入・発現させ再度体内に戻す手法。遺伝導入細胞が遺伝子治療薬となる。

*2: 標的臓器・細胞における目的遺伝子の導入・発現を遺伝子導入ベクターの投与によって行う手法。ベクター(ウイルス等)が遺伝子治療薬となる。

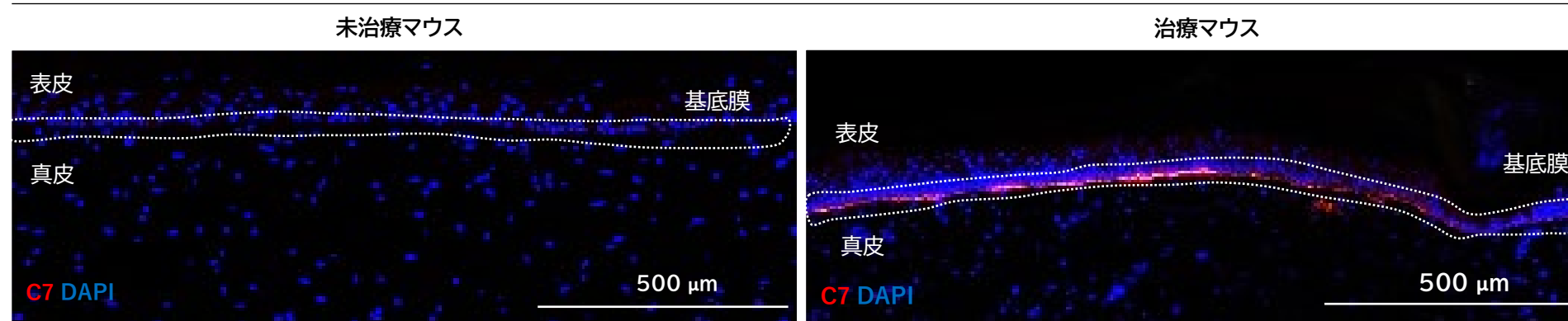
PJ5 表皮水疱症 幹細胞遺伝子治療(3)

RDEBモデルマウスを用いた本治療法の治療効果と薬効持続期間の検証

■ 本治療法によりRDEBモデルマウスにおける基底膜のVII型コラーゲンタンパク質(C7)が回復する



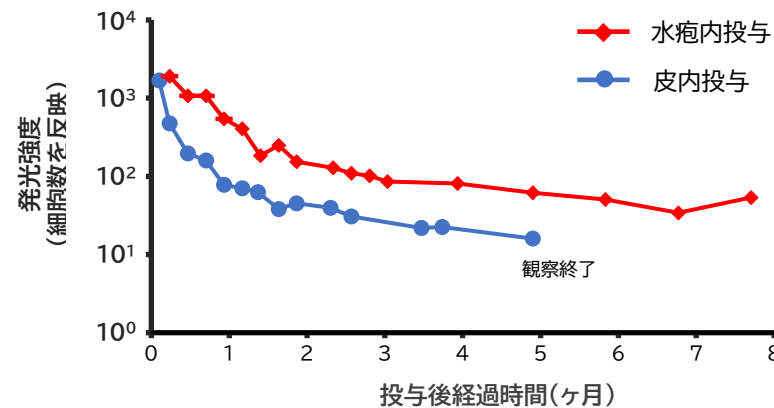
水疱内投与後のRDEBモデルマウス皮膚組織



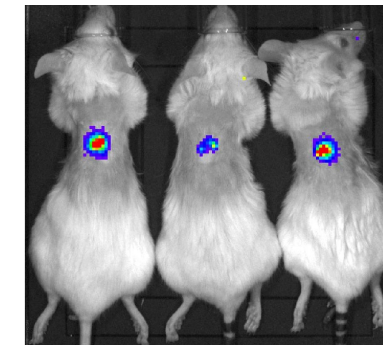
DAPI：細胞核

■ 本治療法で用いる水疱内投与はBf-MSCsの高い生着能を示す

投与経路別のBf-MSC 生着数の推移



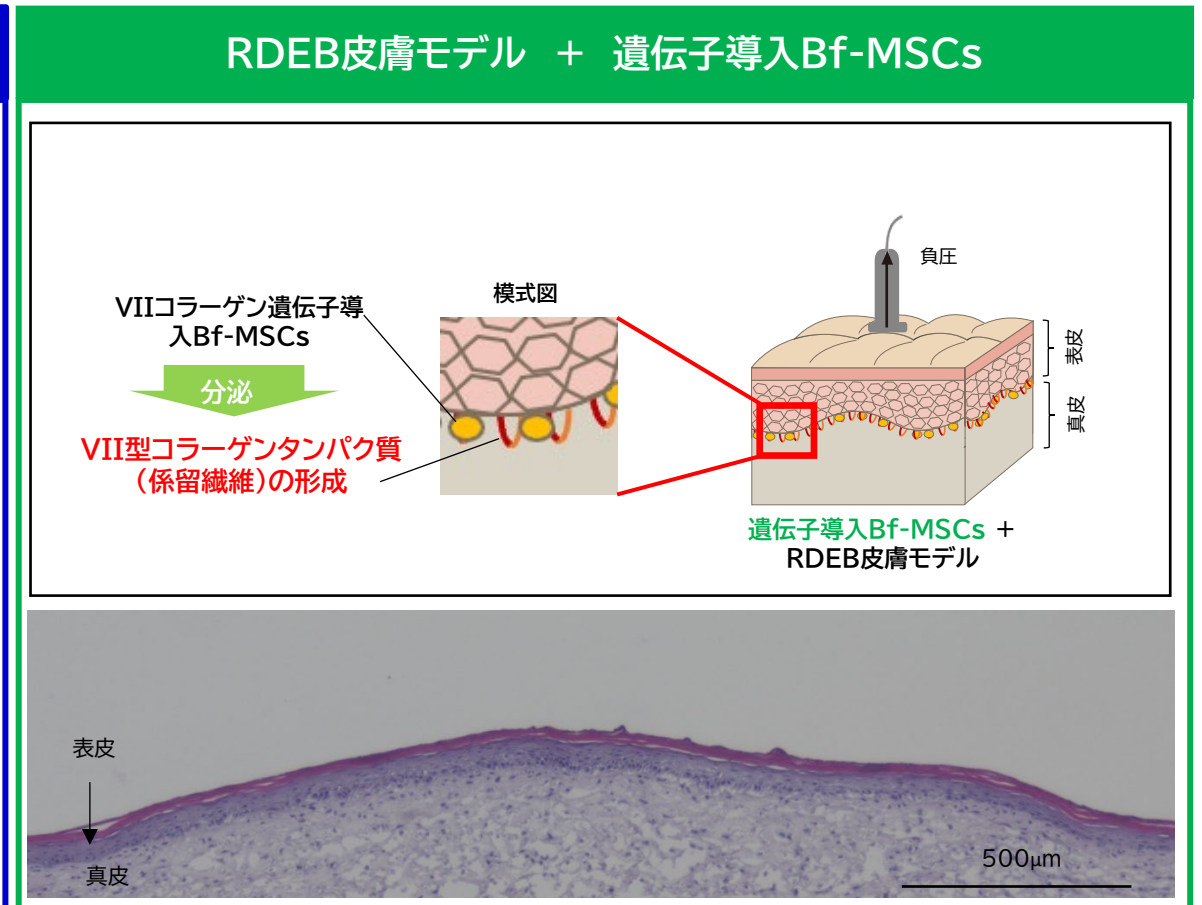
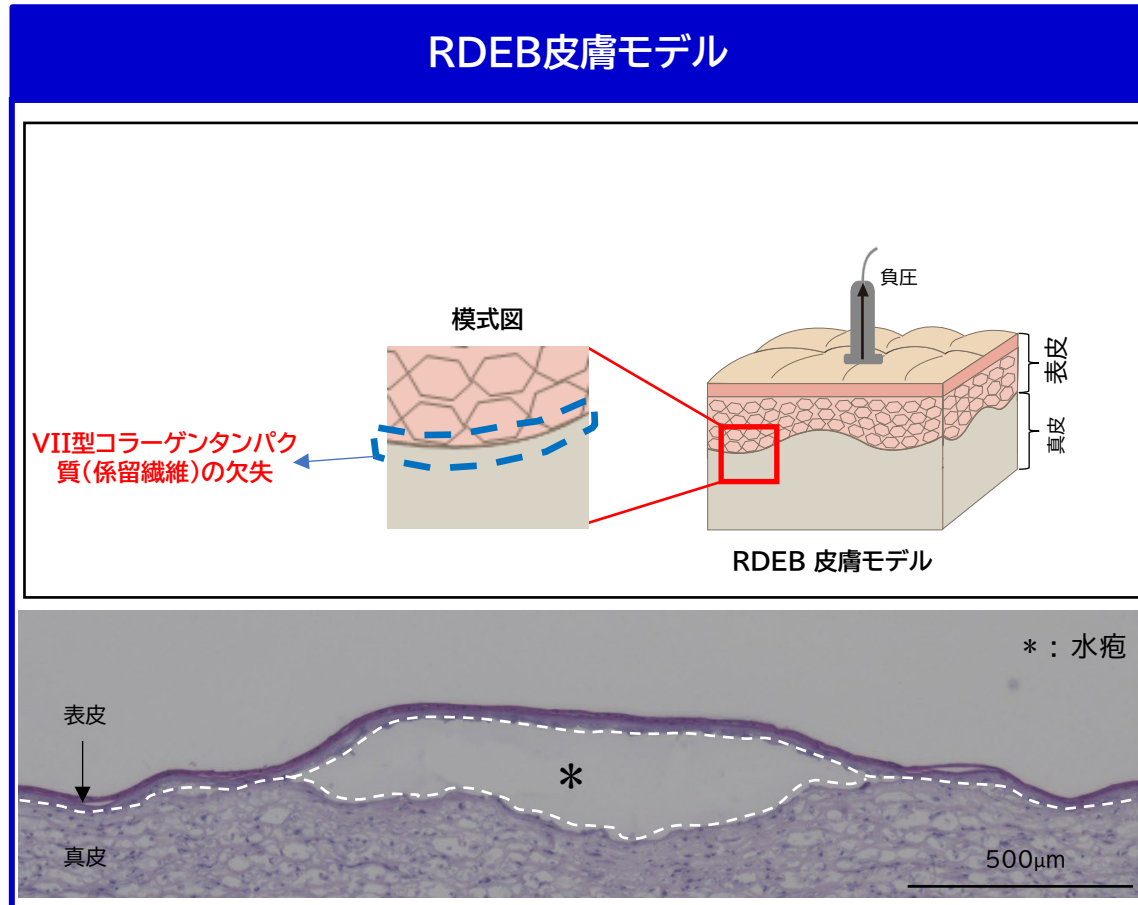
水疱内投与5か月経過後



(出所)当社と大阪大学との共同研究

RDEB皮膚モデルに対する治療効果

- 患者皮膚由来細胞を用いたRDEB皮膚モデルを作成し、吸引法により人工的に水疱を形成することで、本治療法の薬効を検証した



(出所)当社と大阪大学との共同研究

5. 今後の成長戦略



次世代の再生誘導医薬[®]導出

- ・非臨床試験において顕著な活性を有する新規化合物について、導出活動を促進。
- ・国内企業に限らず、グローバル開発を視野に事業開発活動を展開。



レダセムチドの開発支援

- ・レダセムチドにおける進行中の臨床試験の側面支援の継続及び大阪大学との共同研究・開発を引き続き進捗。



開発パイプラインの拡充

- ・動物薬効の迅速な確認と薬事戦略立案により複数の開発候補物質を引き続き同定。
- ・協働研究所における各大学とのコラボレーションにより、新たな再生誘導医薬[®]の導出に向けた非臨床試験を多面的に展開。

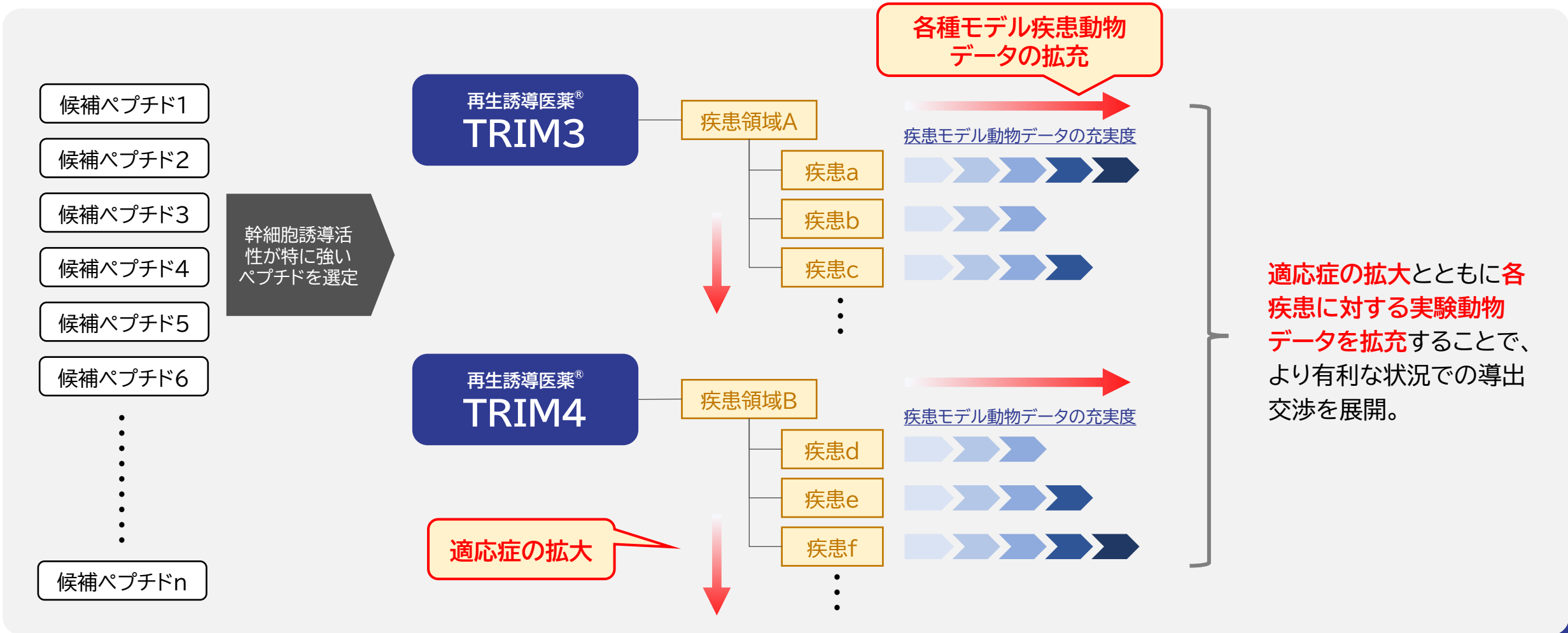


再生誘導医薬[®]の 潜在価値最大化

細胞治療領域のゲームチェンジャーを目指す

次世代の再生誘導医薬[®]導出

「骨髄内の間葉系幹細胞を血中に動員し、損傷組織に集積させ、機能的再生を誘導する」ペプチドを多数同定。その中から特に顕著な活性を示す2ペプチドを次世代の再生誘導医薬[®]候補TRIM3、TRIM4とし、導出活動を展開。



*TRIM; Tissue Regeneration-Inducing Medicine (組織の再生誘導医薬)

5. 今後の成長戦略

次世代の再生誘導医薬[®] 導出: 活動実績

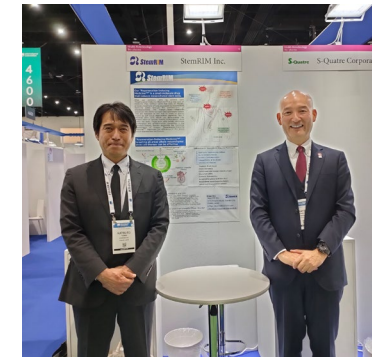


2024年7月期
カンファレンス参加実績

- BioJapan 2023
2023.10.11~13 @横浜
- 42nd Annual J.P. Morgan Healthcare Conference
2024.1.8~11 @San Francisco, CA
- BIO International Convention 2024
2024.6.3~6 @San Diego, CA

2023年7月期
カンファレンス参加実績

- BioJapan 2022
2022.10.11~13 @横浜
- EU-Japan Biotech & Pharma Partnering Conference 2022
2022.10.11 @大阪
- 41st Annual J.P. Morgan Healthcare Conference
2023.1.9~12 @San Francisco, CA
- BIO International Convention 2023
2023.6.5~8 @Boston, MA



Our "Regeneration-Inducing Medicine™" is a small-molecule drug that induces mesenchymal stem cells.

What our company aims to achieve with "Regeneration-Inducing Medicine™" is a new type of medicine that, without using live cells or tissues, provides treatment effects equivalent to regenerative medicine solely through the administration of pharmaceuticals. The human body inherently possesses the ability to repair and regenerate tissues that are damaged or lost due to injury or illness, known as self-tissue regeneration capability. This is because stem cells, which can differentiate into various types of tissues (having multipotency), exist within the body. These stem cells exhibit necessary proliferation and differentiation capabilities in the damaged tissues, thereby promoting the functional regeneration of tissues. Regeneration-Inducing Medicine™ maximizes the efficiency of this innate tissue regeneration mechanism.

"Regeneration-Inducing Medicine™" targeting all areas where mesenchymal stem cell therapy can be effective

Indications for "Regeneration-Inducing Medicine™"

- Dystrophic Epidermolysis Bullosa
- Acute Ischemic Stroke
- Ischemic Cardiomyopathy
- Osteoarthritis of the Knees
- Chronic Liver Disease
- Traumatic Brain Injury
- Atopic Dermatitis
- Cerebrovascular Disease (chronic phase)
- Ulcerative Colitis
- Systemic Scleroderma
- Amiotrophic Lateral Sclerosis (ALS)
- Hemochromatosis/Steatohepatitis (NASH)
- Spinal Cord Injury (chronic phase)

Our Team

Matsutane Okajima, President and CEO
President and CEO, StemRIM Inc. (Oct. 2023 - Present), President, StemRIM Inc. (March 2019 - Oct. 2023), Vice President, Medicinova Inc. (Dec. 2016 - March 2019), Deputy General Manager, Daiwa Securities SMC Capital Markets Co., Ltd. (Current), Daiwa Securities SMC Capital Markets Co., Ltd. (Current), Daiwa Securities SMC Capital Markets Co., Ltd. (April 1999 - March 2012), Sanjimon Capital Securities Co., Ltd. (Oct. 1996 - April 1999), Sanjimon Bank, Ltd. (Current), Mizuho Sanjimon Bank (April 1991 - Oct. 1996)

Katsuto Tamai, Founder and Chief Scientific Officer, Director
Director, StemRIM Inc. (Oct. 2023 - Present), Professor, Endowed course of Regeneration-Inducing Medicine, Graduate School of Medicine, Faculty of Medicine, Osaka University (Oct. 2010 - Present), Director, StemRIM Inc. (Feb. 2007 - Aug. 2010), Associate professor, Department of Gene Therapy, Graduate School of Medicine, Faculty of Medicine, Osaka University (May 2003 - Sep. 2009)

Inquiries:
StemRIM Inc.
7-7-15 Saito-Asagi, Ibaraki City,
Osaka, Japan
URL: <https://stemrim.com/english/>

国内外の複数の製薬企業と導出交渉を実施

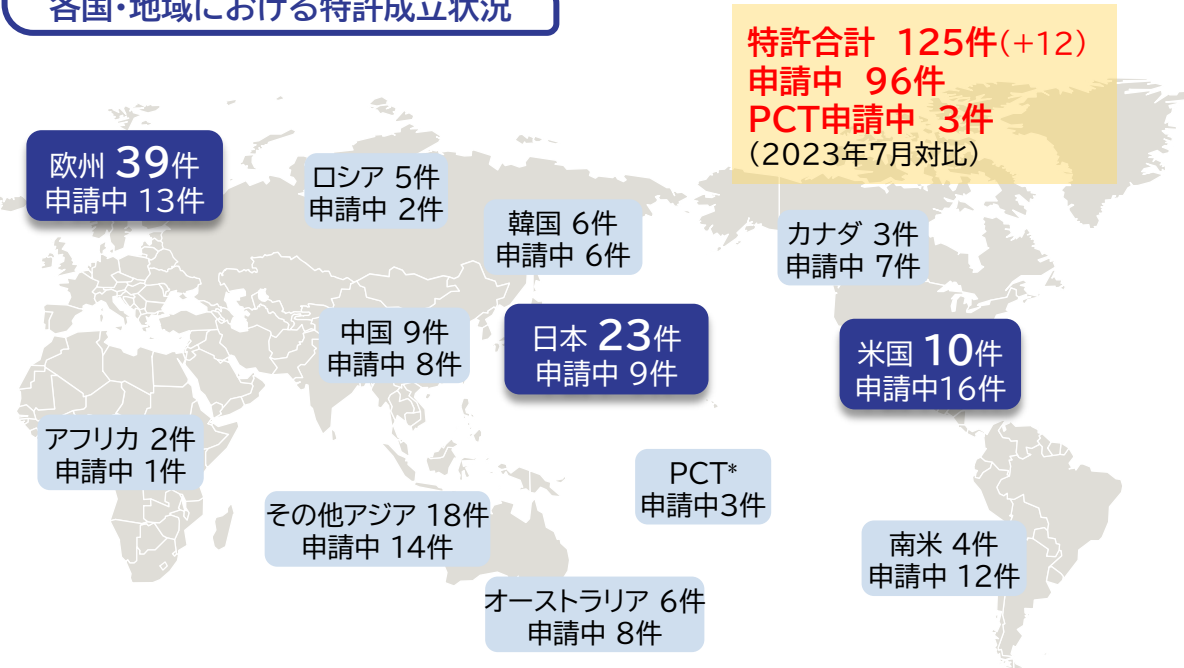


次世代の再生誘導医薬[®] 導出: 知財戦略

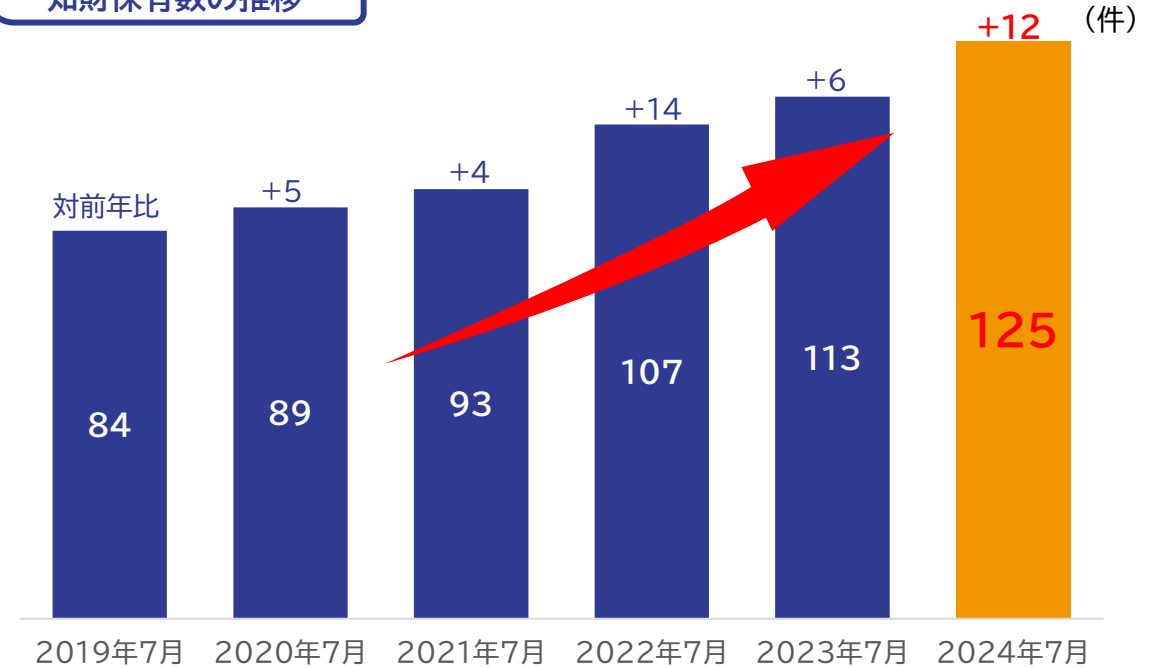


世界各国において再生誘導医薬[®] に関連する特許が成立。研究成果の知的財産化を着実に推進し、グローバル展開を目指す。

各国・地域における特許成立状況



知財保有数の推移



特許成立及び出願国



*: PCT: 特許協力条約加盟国

注: 2024年7月末時点

国内外の大学・研究機関とのコラボレーションにより再生誘導医薬[®]開発の可能性を模索

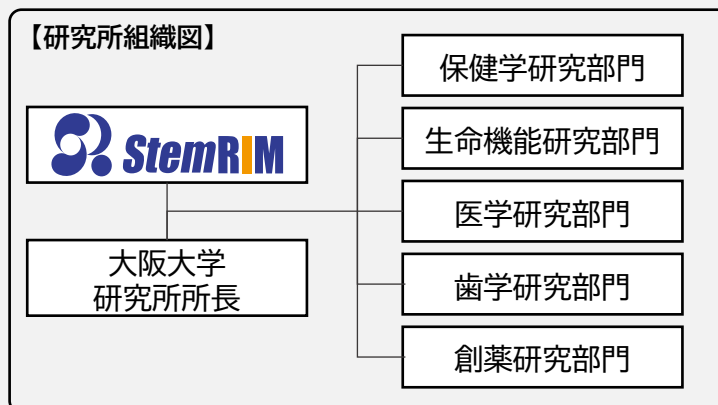


再生誘導医学協働研究所



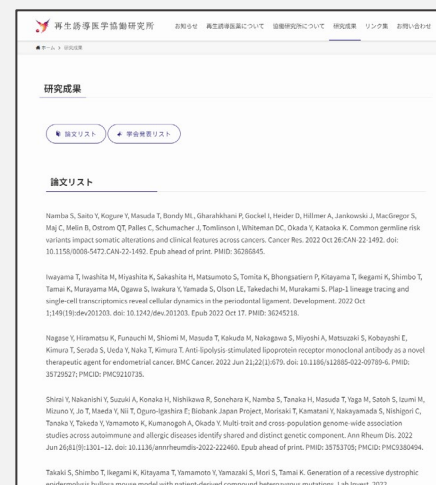
再生誘導医学協働研究所 所長
遠藤 誠之 教授

2020年6月、大阪大学吹田キャンパステクノアライアンスAB棟6-7階に『再生誘導医学協働研究所(面積1,540㎡)』を開設。
研究所所長に遠藤誠之教授(大学院医学系研究科保健学専攻生命育成看護科学講座 母性胎児科学)、各メンバーに、
村上伸也特任教授(大学院歯学研究科 口腔分子免疫制御学講座 口腔治療学)、
石井優教授(大学院生命機能研究科 個体機能学講座 免疫細胞生物学)、
藤本学教授(大学院医学系研究科 情報統合医学講座 皮膚科学)、
らを迎え、多面的な再生誘導医薬の発展・展開を模索。
これまでに複数の共同研究プロジェクトが進捗。



共同研究プロジェクト推移

	2021/7	2022/7	2023/7	2024/7	備考
保健学研究部門	1	2	3	2	新生児関連疾患
生命機能研究部門	—	—	—	—	
医学研究部門	—	1	2	2	神経系疾患、整形外科関連
歯学研究部門	3	5	5	5	歯周炎関連疾患
合計	4	8	10	9	

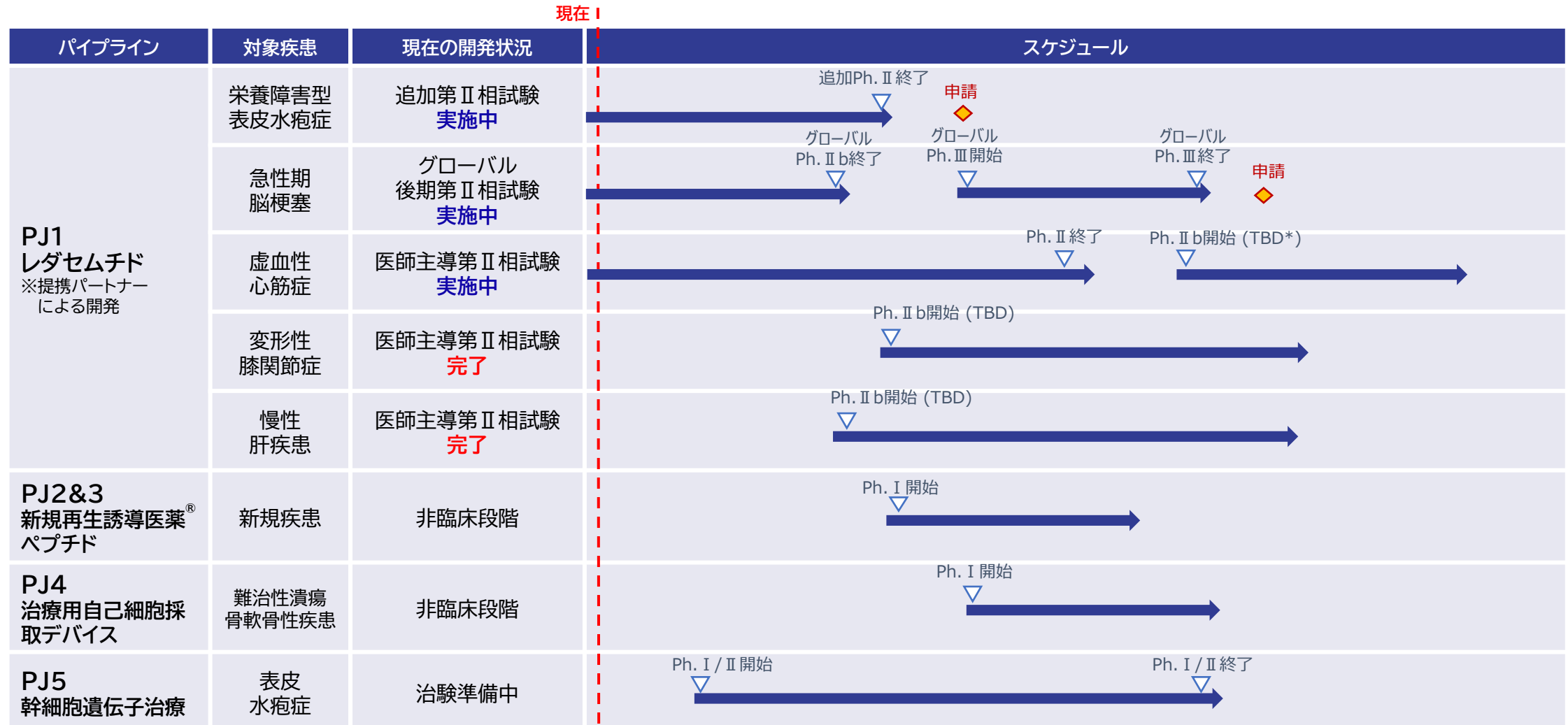


再生誘導医学協働研究所Webサイト:
<https://stemrim-osaka-u.jp/>



*再生誘導医学協働研究所Webサイト「研究成果」より

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



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。

*TBD: to be determined

2025年7月期 通期業績予想について



2024年7月期 研究開発進捗

前回開示内容(2023年10月31日)

2024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

2024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~310百万円

実績

2024年7月期 研究進捗実績

- レダセムチドにおける虚血性心筋症を対象とした医師主導第Ⅱ相試験が開始
- 次世代の再生誘導医薬[®]開発候補品について、複数のカンファレンスに参加し国内外の製薬企業との導出交渉を展開

2024年7月期 現金支出実績

研究開発に係る現金支出	1,266百万円
一般管理費に係る現金支出	263百万円

2025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
 - 新規提携による契約一時金が発生する可能性があるが、契約締結の時期を特定することは困難
- 以上の理由により2025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**。

2025年7月期 研究進捗見込

- レダセムチドについて、臨床試験が及び適応拡大に向けた研究開発が引き続き進捗
- 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

2025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~310百万円

(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 株式発行 (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

(金額:百万円)

新規上場に伴う 株式発行 (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	1,949 内訳 〔 設立費用 940 維持費用 1,009 〕	1,204
			(2020.7期~2030.7期)	(2020.7期~2024.7期)	(2025.7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	2,828 内訳 〔 外注費 512 研究材料費 943 共同研究費 1,372 〕	2,642
			(2020.7期~2026.7期)	(2020.7期~2024.7期)	(2025.7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**

当社は、「再生誘導[®]で難治性疾患を克服する」の企業理念のもと、大阪大学をはじめとした各大学との共同研究及び再生誘導医学協働研究所での研究成果を最大限に活用し、従来の再生医療・細胞治療の問題点を克服した次世代の医薬品である「再生誘導医薬[®]」の開発に取り組んでおります。「再生誘導医薬[®]の開発を通じて、難治性疾患に苦しむ世界中の患者の皆様に笑顔をお届けしたい」という私たちのミッションは、社会にインパクト(良い影響)をもたらすものであると考えています。今後も、再生誘導医薬[®]の開発事業を通じて社会の発展に貢献し続けるとともに、事業に関連した社会の重要課題に取り組んでまいります。

SDGs最重点目標

3 すべての人に
健康と福祉を



ターゲット:3.4/3.8

「すべての人に健康と福祉を」

ステムリムは再生誘導医薬[®]の実現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で持続可能な未来の実現を目指してまいります。難病に苦しむ世界中の患者の皆様に笑顔をお届けできる未来を目指します。



課題1 多様な人材が活躍できる職場風土の醸成

私たちのミッションの実現のためには、高度な専門的知識、技能及び経験を有する多様な人材の確保と継続的な人材育成はもとより、社員がいきいきと活躍できる職場風土を醸成することが、重要課題の一つであると認識しております。これを維持・向上するために基本的な人事施策の実施を行っております。

具体的な取り組み

- ・ワークライフバランスの実現を目的としたフレックスタイム制度の導入、コアタイムの拡大
→個人がライフスタイルに合わせて出勤時間や退勤時間、労働時間の長さを選べるようになったことで**生産性の向上**を実現
- ・コンプライアンス研修、情報セキュリティ研修、ハラスメント防止研修等多種多様なオンライン研修の実施
→**人材育成の強化**
- ・ストック・オプション制度
→**優秀な人材確保及び従業員の定着化**



課題2 安全で働きやすい職場環境の構築

社員が活躍できるよう成長をサポートすることが持続的かつ安定的な組織成長につながると考え、より働きやすい環境を目指し、各種施策については定期的に見直しを図っております。

具体的な取り組み

- ・男性の育休取得推進、出産育児休暇、休業、時短勤務制度等の諸制度の整備
→女性活躍推進、組織力強化
- ・オンラインメンタルヘルスカウンセリングの導入
→従業員心の不調の早期発見・予防

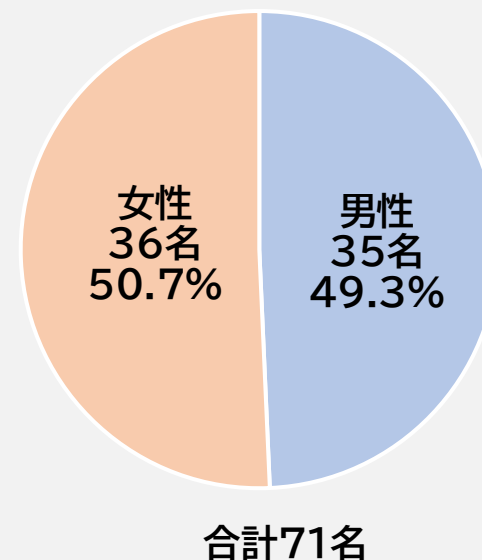
育休取得実績(2024年9月現在、過去2年実績)

男性 100%
女性 100%

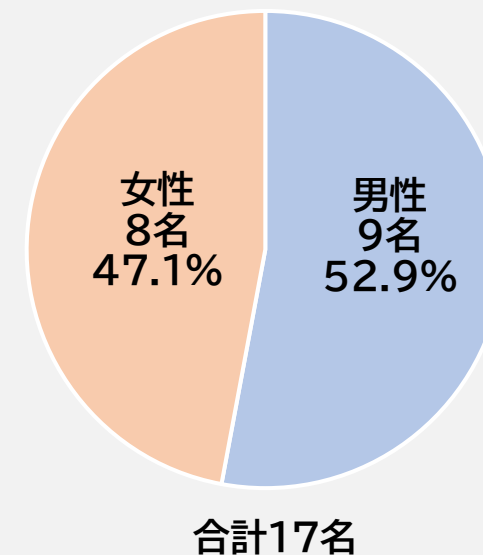


男女比率(2024年7月現在)

従業員の男女比



管理職の男女比



サステナビリティに関する取り組み

課題3 知的財産に関する取り組み

当社は製薬企業に対し当社が開発する医薬品の開発権・販売権等をライセンスアウトし、契約一時金・マイルストーン収入・ロイヤリティ収入等を得る事業モデルであるため、当社の持つ知的財産を適切に管理し、活用していくことは企業価値の向上に必要不可欠であると考えております。

そのために、自社事業を支える戦略的な知的財産の確保及び取得した知的財産の維持管理に努めています。当社の知財部門では弁理士資格を有していることはもとより、再生誘導医薬[®]に関する高度な専門的知識を有する人材が活躍しており、国内のみならず海外市場を含めた特許出願の推進・知的財産の保護に鋭意取り組んでおります。

課題4 資源の循環利用の促進

当社では、すべての経営資源を最大限有効に活用することにより、グローバルで持続可能な社会の実現を目指し活動を推進しています。

また分別廃棄の徹底や節電によりCO2を削減し、よりよい社会の創造に貢献いたします。

当社で使用する紙等の有効資源については、持続可能な利用や資源循環の取り組みを全社で推進しています。

今後も、社会と事業の継続性に貢献するべく、不用品の消費を見直し、貴重な資源を最大活用できるよう取り組んでまいります。



6. リスク情報

リスク	リスク	顕在化の可能性／時期	対応策
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	<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 	中／随時	<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。
B) 特定の提携契約に依存した事業計画について	<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 	中／随時	<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社事業計画への影響を最小限に抑えます。
C) 資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> 当社のような研究開発型企業は、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。 	小／随時	<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 社長CEO
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・マーケット(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年より当社代表取締役社長就任。2023年より代表取締役社長CEO。



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、NTTプレジジョンメディシン(株)メディカルサービス事業部担当課長(現任)。



取締役CSO 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、2010年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。2022年当社取締役CSO(現任)、2023年大阪大学大学院医学系研究科招聘教授(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、福岡県保険福祉部薬務課(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)ポル・メド・テック 取締役(現任)、PRDM(株)取締役(現任)、リージョナル・フィッシュ(株)監査役、百三総研(株)代表取締役(現任)、(一社)岐阜市薬剤師会理事(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 海外事業推進部部長、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)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)エグゼクティブ部長,大和証券SMBC(株)名古屋事業法人部部長,(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	岡島 正恒(代表取締役社長CEO)
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	7,579百万円(2024年7月末時点) 自己資本比率83.4%
役員数	71名(2024年7月末時点)
研究開発 人	<p>研究職62名</p>  <p>Ph.D 22名</p> <p>その他 40名</p> <p>*Ph.D 22名には医師、獣医師含む *2024年7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	塩野義製薬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
2018年1月	大阪大学においてレダセムチドに関する表皮水疱症を対象とした第Ⅱ相医師主導治験開始(2020年3月終了)
2019年4月	塩野義製薬においてレダセムチドに関する脳梗塞を対象とした第Ⅱ相企業主導治験開始(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	塩野義製薬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第Ⅱ相医師主導治験開始
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第Ⅱ相医師主導治験開始
2021年2月	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第Ⅱ相医師主導治験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
2023年3月	レダセムチドに関する変形性膝関節症を対象とした第Ⅱ相医師主導治験データ解析結果の速報を通知
2023年3月	レダセムチドに関する脳梗塞を対象としたグローバル後期第Ⅱ相治験を開始(日本、北米)
2023年4月	レダセムチドに関する慢性肝疾患を対象とした第Ⅱ相医師主導治験データ解析結果の速報を通知
2023年7月	レダセムチドに関する脳梗塞を対象としたグローバル後期第Ⅱ相治験を開始(欧州、中国)
2024年3月	レダセムチドに関する虚血性心筋症を対象とした第Ⅱ相医師主導治験を開始

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2025年10月ごろを予定しております。