

株式会社リプロセル（証券コード：4978）



# 事業計画及び 成長可能性に関する事項

2025年6月



## ① 会社概要

② 事業環境

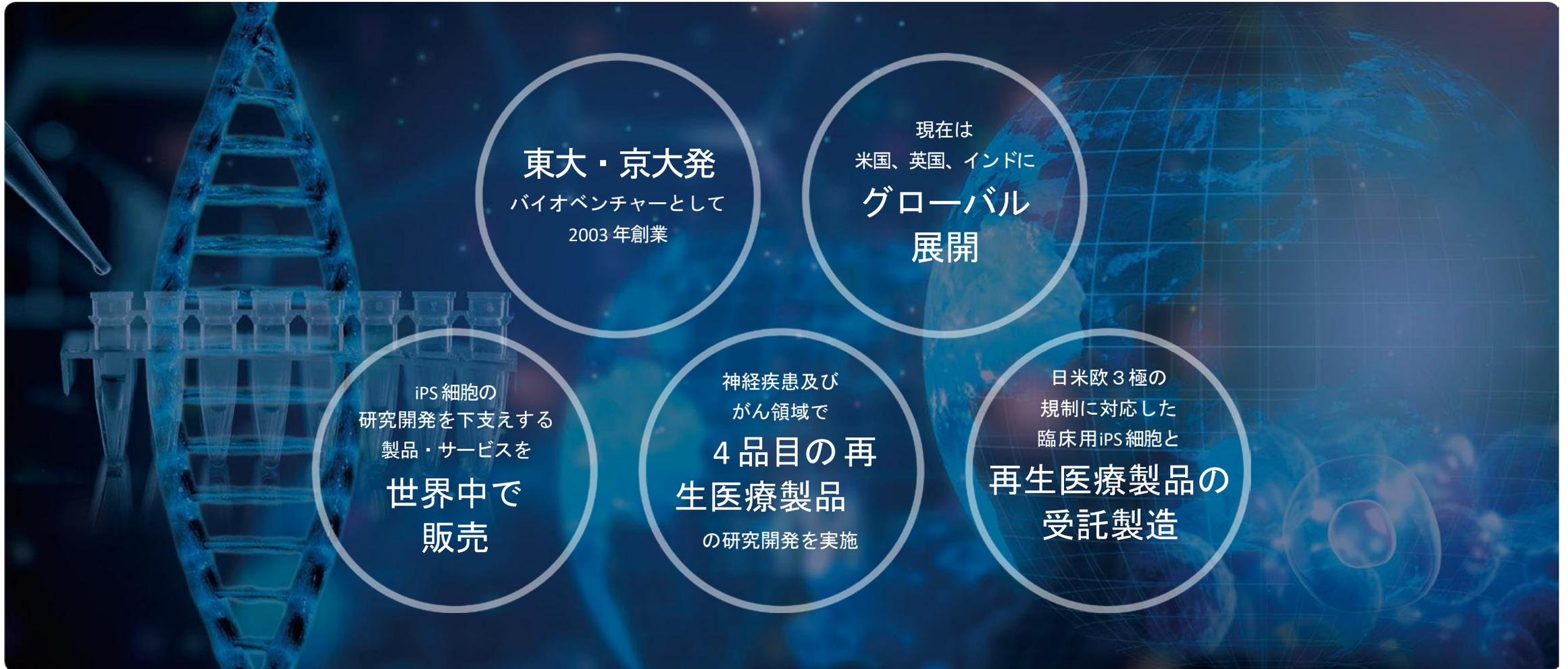
③ 研究支援事業

④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策

# 最先端のiPS細胞技術を有する再生医療の会社



**東大・京大発**  
バイオベンチャーとして  
2003年創業

現在は  
米国、英国、インドに  
**グローバル**  
展開

iPS細胞の  
研究開発を下支えする  
製品・サービスを  
**世界中で**  
販売

神経疾患及び  
がん領域で  
**4品目の再**  
生医療製品  
の研究開発を実施

日米欧3極の  
規制に対応した  
臨床用iPS細胞と  
**再生医療製品の**  
受託製造

## Induction of Pluripotent Stem Cells from Adult Human Fibroblasts by Defined Factors

Kazutoshi Takahashi,<sup>1</sup> Koji Tanabe,<sup>1</sup> Mari Ohnuki,<sup>1</sup> Megumi Narita,<sup>1,2</sup> Tomoko Ichisaka,<sup>1,2</sup> Kiichiro Tomoda,<sup>3</sup> and Shinya Yamanaka<sup>1,2,3,4,\*</sup>

<sup>1</sup>Department of Stem Cell Biology, Institute for Frontier Medical Sciences, Kyoto University, Kyoto 606-8507, Japan

<sup>2</sup>CREST, Japan Science and Technology Agency, Kawaguchi 332-0012, Japan

<sup>3</sup>Gladstone Institute of Cardiovascular Disease, San Francisco, CA 94158, USA

<sup>4</sup>Institute for Integrated Cell-Material Sciences, Kyoto University, Kyoto 606-8507, Japan

\*Correspondence: yamanaka@frontier.kyoto-u.ac.jp

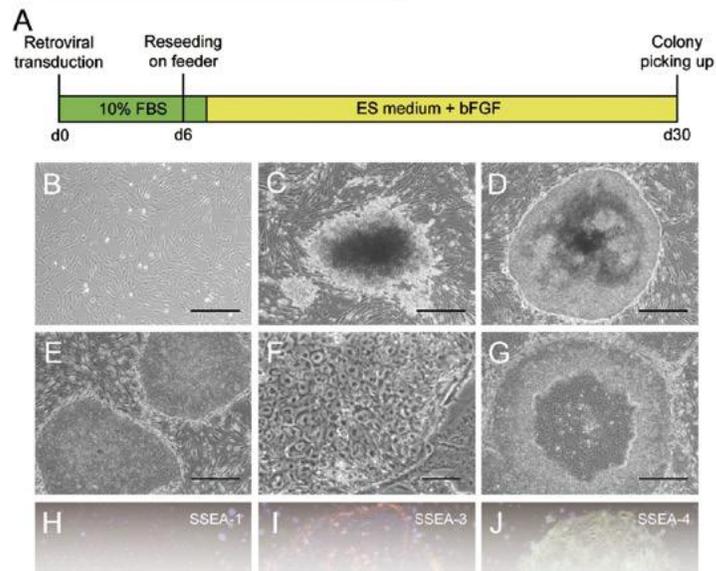
DOI 10.1016/j.cell.2007.11.019

### SUMMARY

Successful reprogramming of differentiated human somatic cells into a pluripotent state would allow creation of patient- and disease-specific stem cells. We previously reported generation of induced pluripotent stem (iPS) cells, capable of germline transmission, from mouse somatic cells by transduction of four defined transcription factors. Here, we demonstrate the generation of iPS cells from adult human dermal fibroblasts with the same four factors: Oct3/4, Sox2, Klf4, and c-Myc. Human iPS cells were similar to human embryonic stem (ES) cells in morphology, proliferation, surface antigens, gene expression, epigenetic status of pluripotent cell-specific genes, and telomerase activity. Furthermore, these cells could differentiate into cell types of the three germ layers in vitro and in teratomas. These findings demonstrate that iPS cells can be generated from adult human fibroblasts.

### INTRODUCTION

Embryonic stem (ES) cells, derived from the inner cell mass of mammalian embryos, have the ability to generate all cell types, while maintaining pluripotency (Evans and Kaufman, 1981; Martin, 1981). These properties have led



リプロセルの試薬が、山中伸弥教授が世界で初めてヒトiPS細胞を作製した実験で使用されました。



Culture media for iPS cells



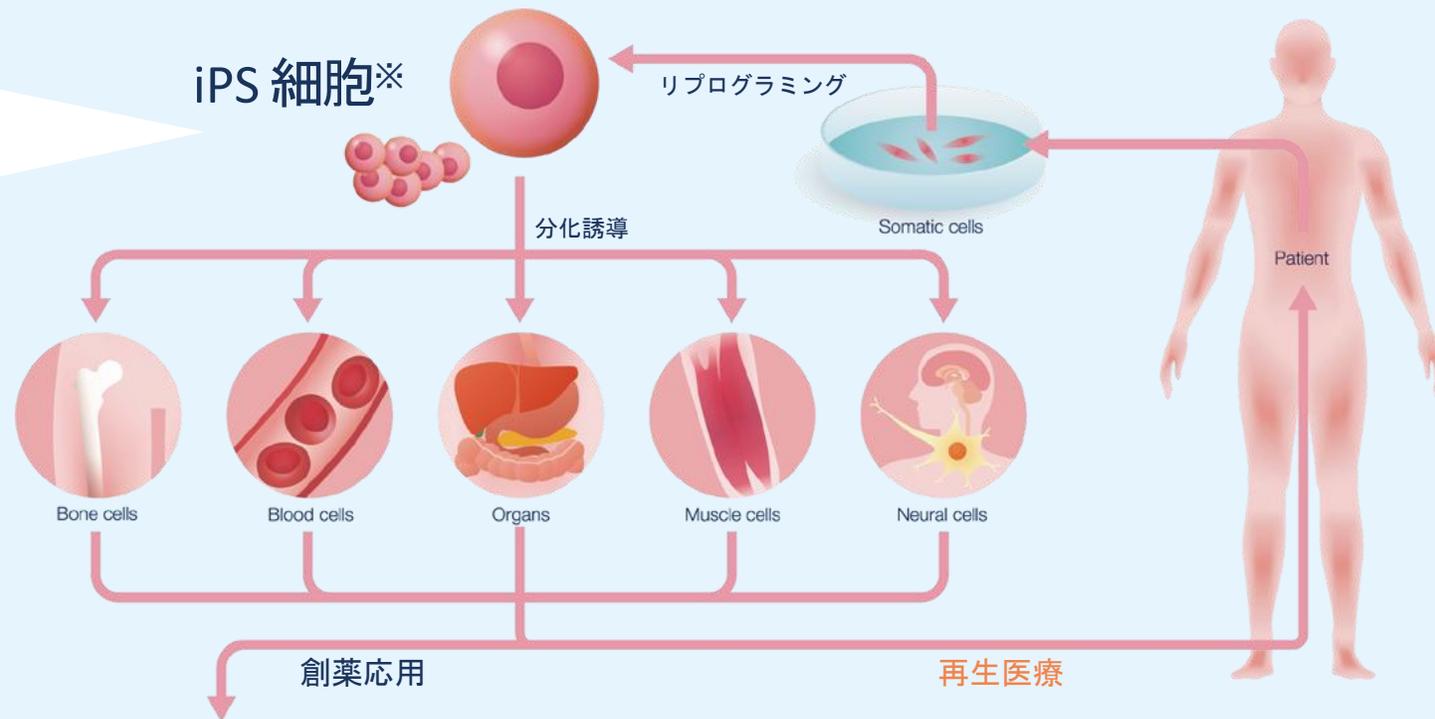
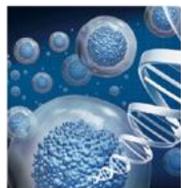
3<sup>rd</sup>-Gen Reprogramming kit

出所: Takahashi, K., Tanabe, K., Ohnuki, M., Narita, M., Ichisaka, T., Tomoda, K., & Yamanaka, S. (2007). Induction of pluripotent stem cells from adult human fibroblasts by defined factors. *Cell*, 131(5), 861–872. <https://doi.org/10.1016/j.cell.2007.11.019>

2007 年山中伸弥教授により、  
世界で初めてヒト iPS 細胞が樹立されました。

(2012 年ノーベル医学生理学賞)

iPS 細胞は様々な細胞に変化(分化)する特殊な能力を有しており、「万能細胞」と呼ばれます。iPS 細胞から作製した様々な細胞を用いた再生医療の研究開発が世界中で進んでいます。



※当社はiPSアカデミアジャパン(株)と特許権の満了までヒトiPS細胞由来分化細胞の製造・販売、並びに各種受託サービスを実施するための非独占的通常実施権の許諾に関する特許ライセンス契約を締結しております。



### 研究支援事業

- 研究試薬
- 細胞供給
- 受託サービス
- 研究機器



### メディカル事業

- 再生医療
- 臨床用 iPS 細胞
- パーソナル iPS
- 臨床検査

# iPS 細胞技術プラットフォームと事業セグメント

iPS 細胞技術プラットフォームをベースに、研究支援とメディカルの2つのビジネスを展開しています。



# グローバル事業拠点

日本、米国、英国、インドの  
4拠点で事業を  
グローバルに  
展開しています。



アメリカ/メリーランド



イギリス/グラスゴー



インド/ハイデラバード



本社/新横浜



人員構成2025  
年3月末現在

① 会社概要

**② 事業環境**

③ 研究支援事業

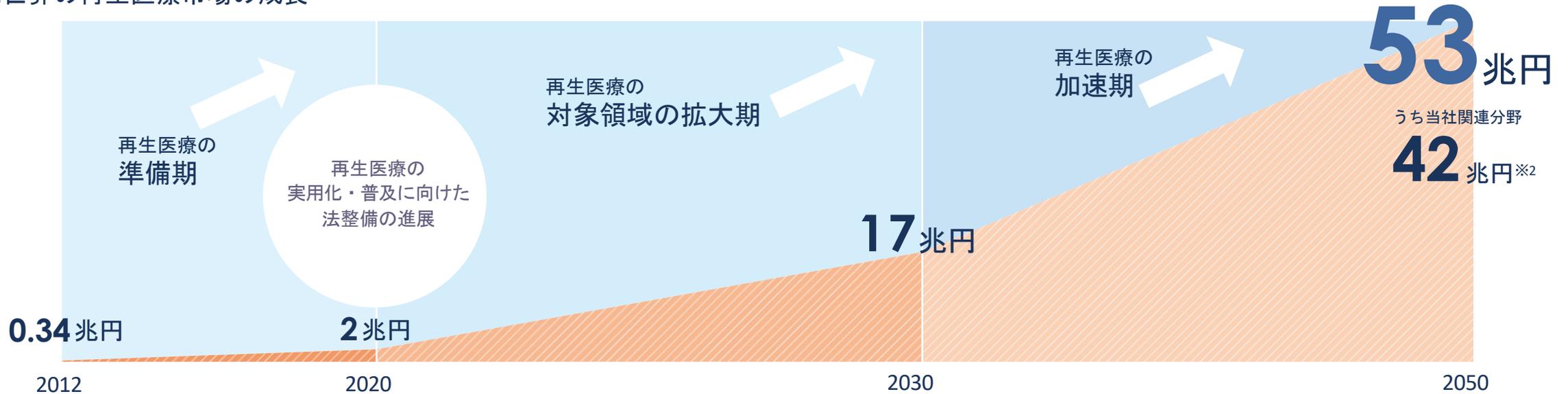
④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策

# 再生医療のグローバル市場規模

## ■世界の再生医療市場の成長※1



出所 ※1: 経済産業省「再生医療の実用化・産業化に関する研究会の最終報告」  
 ※2: 平成24年度 中小企業支援調査（再生医療の実用化・産業化に係る調査事務等）報告書

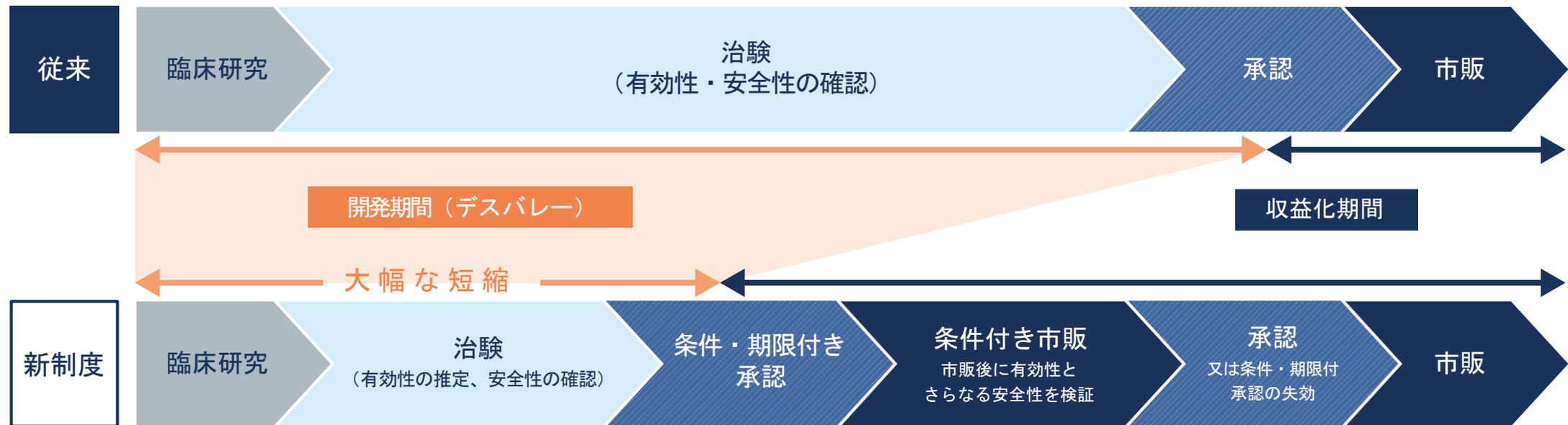
## ■リプロセルグループの長期ビジョン



# 日本における再生医療関連法

2014年11月に施行された改正薬事法により、再生医療等製品の条件及び期限付き製造販売承認制度が導入されました。本制度により、再生医療等製品（細胞医薬品など）は条件及び期限付き承認を得る事で条件付き市販が可能となり、収益化までの「デスバレー」が大幅に短縮されました。

## ■再生医療等製品の実用化に対応した承認制度（条件・期限付き承認）



2024年3月 厚生労働省通知

1. 再生医療等製品に係る条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンス
2. ヒト由来の間葉系幹細胞若しくは間葉系間質細胞を原料とするヒト細胞加工製品の条件及び期限付承認並びにその後の有効性評価計画に関する評価指標

※厚生労働省「薬事法の一部を改正する法律の概要」を参考に当社作成

① 会社概要

② 事業環境

**③ 研究支援事業**

④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策

グローバル4拠点で、アカデミア・製薬企業を対象に「研究製品」、「研究受託サービス」、「研究機器」をトータルに提供しております。

## 研究試薬・細胞製品



iPS研究試薬

生体試料

iPS細胞

研究消耗品

成長因子・  
サイトカイン

## 研究受託サービス



疾患iPS細胞

薬効薬理試験

遺伝子編集

遺伝子解析

iPS分化細胞

## 研究機器



電気生理測定

ライブセル  
イメージング

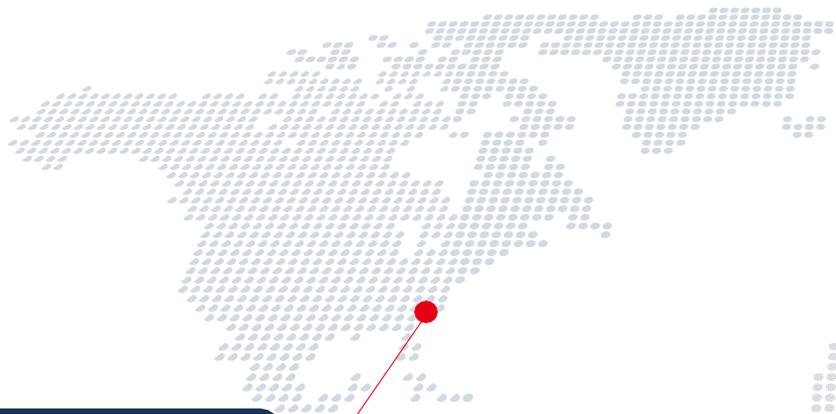
リポソーム作製

微生物検査

大量サンプル  
管理システム

# グローバル展開と成長分野

各拠点でのクロスセルを進めつつ、各地の需要トレンドに応じた研究支援事業を展開しております。



## REPROCELL USA

iPS 細胞研究は米国が世界をリードしており、市場が拡大。試薬・装置・生体試料を中心に展開



Bioreactor Systems



iPS 細胞関連試薬 (Stemgent ブランド)



生体試料 (バイオバンク)



## REPROCELL Europe

独自の医療機関ネットワークから調達するヒト組織を用いた薬効薬理試験を軸に展開。日欧米の大手製薬が主要顧客。



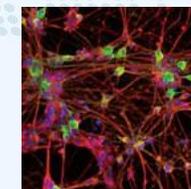
## Bioserve Biotechnologies India

核酸試薬およびゲノム解析サービスを軸に展開。今後の拡大を見据えて取扱製品・サービスの拡充を進めている。

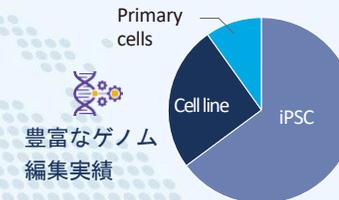


## REPROCELL Japan

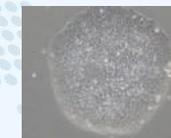
iPS 細胞研究試薬および受託サービス (iPS 細胞樹立・分化誘導・ゲノム編集) を中心に展開



iPS 由来神経細胞



需要の高いHLA ノックアウトiPS細胞を独自開発し、新製品として販売開始



① 会社概要

② 事業環境

③ 研究支援事業

**④ メディカル事業**

⑤ 成長戦略

⑥ 認識するリスク及び対応策

## 再生医療等製品の研究開発 (自社パイプライン)



### 4品目の再生医療製品の研究開発

- 脊髄小脳変性症：脂肪由来間葉系幹細胞
- ALS及び横断性脊髄炎：iPS神経グリア細胞
- 子宮頸がん等の固形がん：腫瘍浸潤リンパ球
- 食道がん等の固形がん：グリピカン1 CAR-T療法

## iPS細胞再生医療等製品の 受託製造



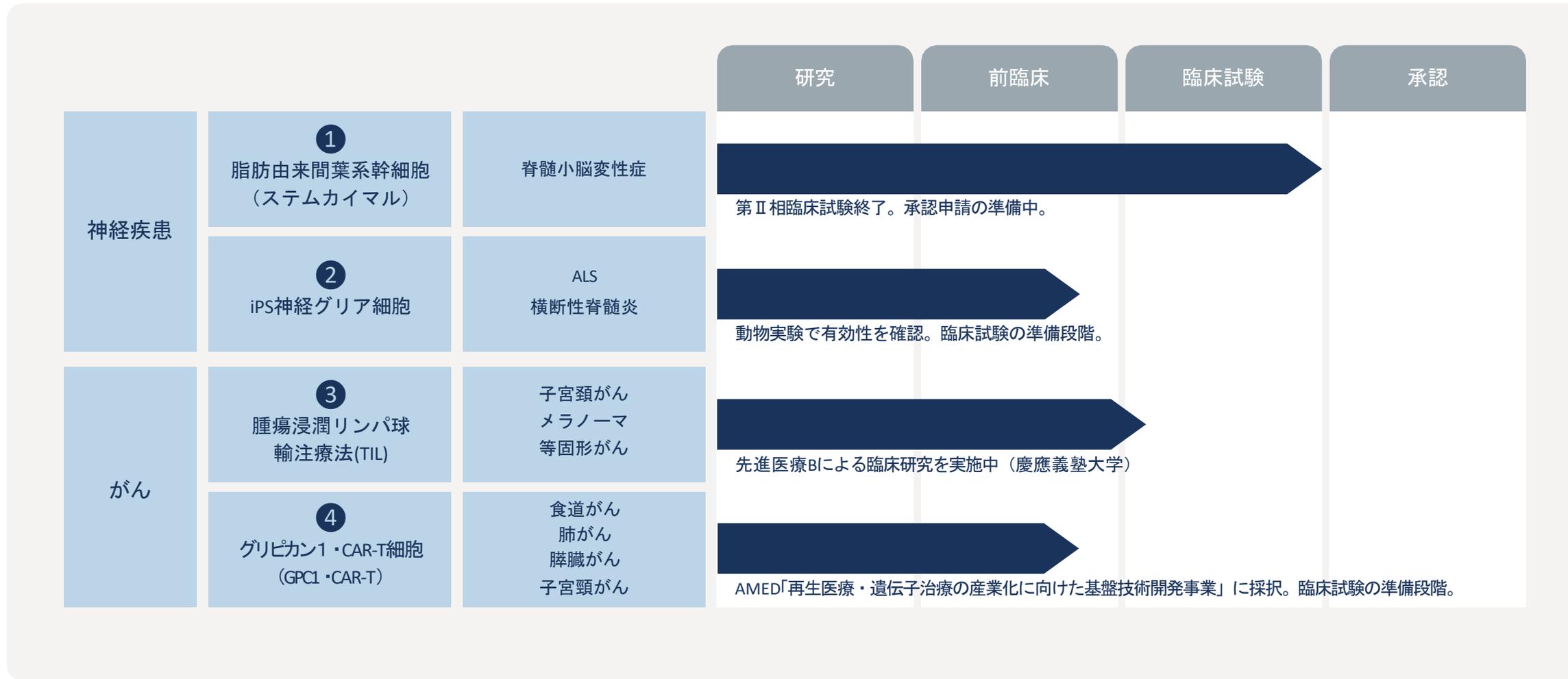
- 「RNAリプログラミング技術」を利用した臨床用iPS細胞の作製
- ドナー細胞、ゲノム編集、分化細胞までの一貫した受託製造サービス
- 日米欧の3極の規制全てに準拠

## 臨床検査受託サービス

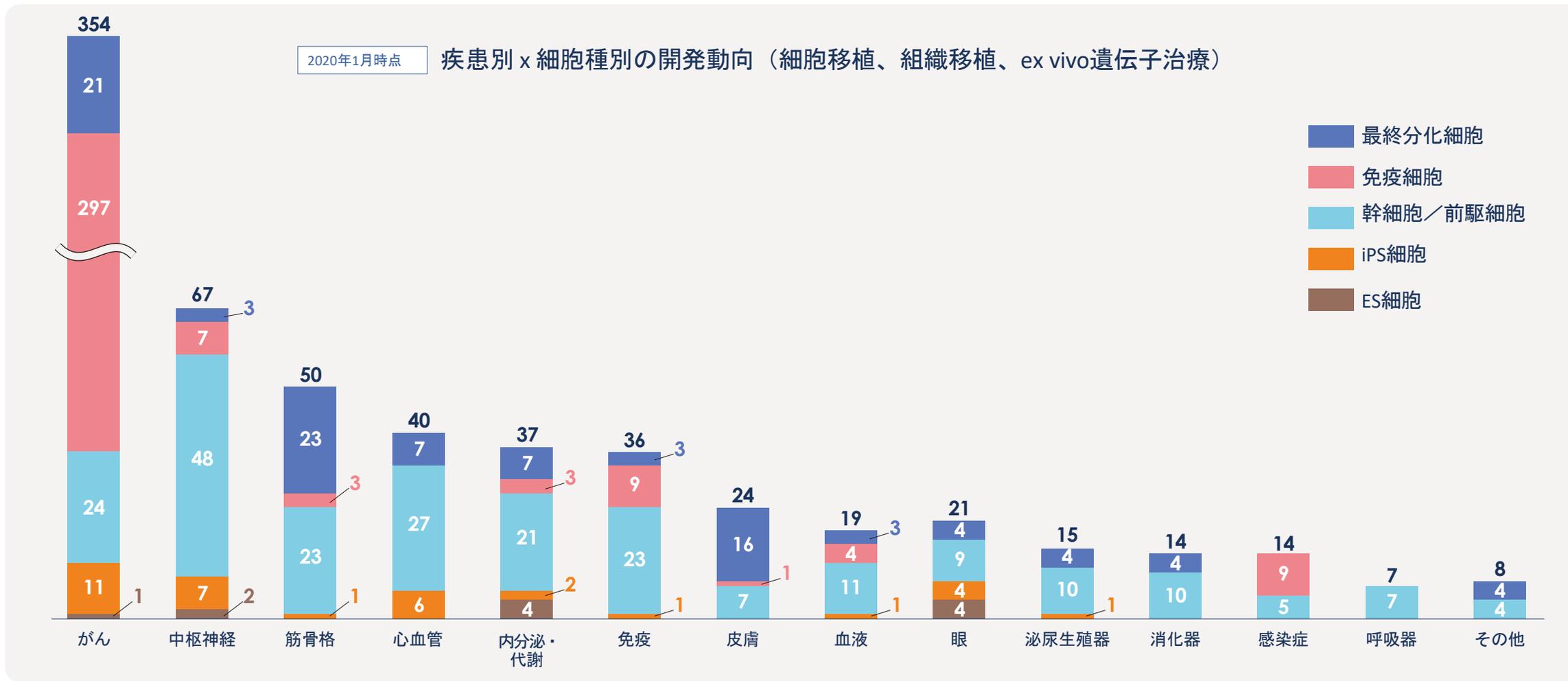


- 臓器移植に関連の臨床検査受託
- 郵送ホルモン検査（ウェルミル）
- 登録衛生検査所

# 再生医療製品のパイプライン



# 再生・細胞治療製品の開発動向 — グローバル



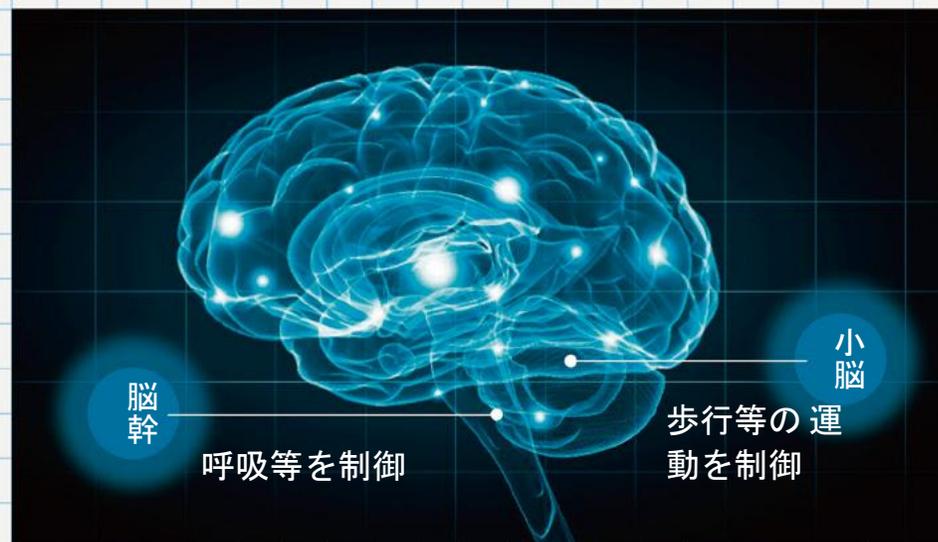
出典：アーサーディーリトル「2019年再生医療・遺伝子治療の市場調査」

# ① ステムカイマルの対象疾患

## 脊髄小脳変性症

脊髄小脳変性症は小脳や脳幹、脊髄の神経細胞が変性してしまう事により徐々に歩行障害（ふらつく、まっすぐ歩けない）や嚥下障害（うまく食べ物が飲み込めない）、言語障害（ろれつが回らない）などの運動失調が現れ、日常生活が不自由となってしまう原因不明の疾患です。

国内患者数は約30,000人（約4,000人に1人）の希少疾患であり、20歳前後から60歳前後まで幅広い年齢で発病することが知られています。



既存薬の国内年間売上は約100億円（2017年実績\*）

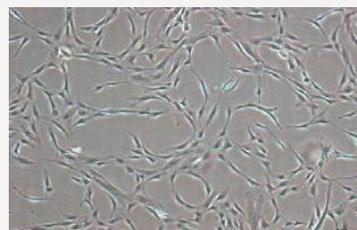


※出所：田辺三菱製薬（株）HP

# ① ステムカイマルの特徴と使用方法

承認申請の準備中

## 脂肪組織由来の 間葉系幹細胞



**パラクリン効果** 増殖因子やサイトカインの放出

**免疫調節** 抗炎症効果

**分化能** 分化による損傷した組織の修復

ステムカイマルに係わる国内特許2件成立済み

- ポリグルタミン病治療用組成物（特許7406251）
- ポリグルタミン病の治療（特許7462974）

ステミネント社が再生医療等製品の外国製造業者として厚生労働大臣より認定

細胞懸濁液を  
生理食塩水に希釈して  
静脈投与

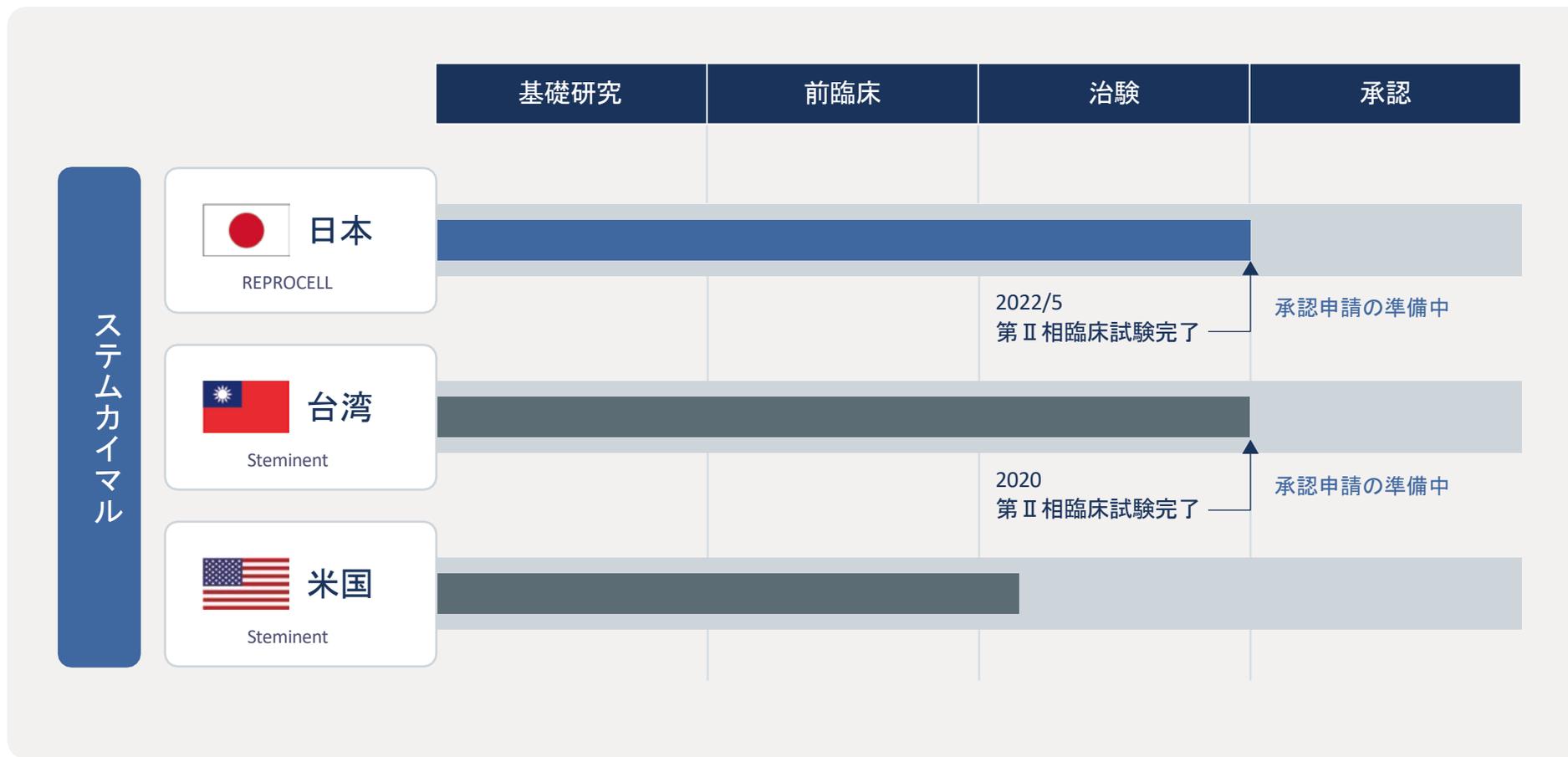


凍結バッグ



# ① ステムカイマル臨床試験の進捗状況

日本・台湾で、第Ⅱ相臨床試験を完了しており、現在、それぞれの国で承認申請の準備を進めております。



# ① SARAスコアと臨床症状

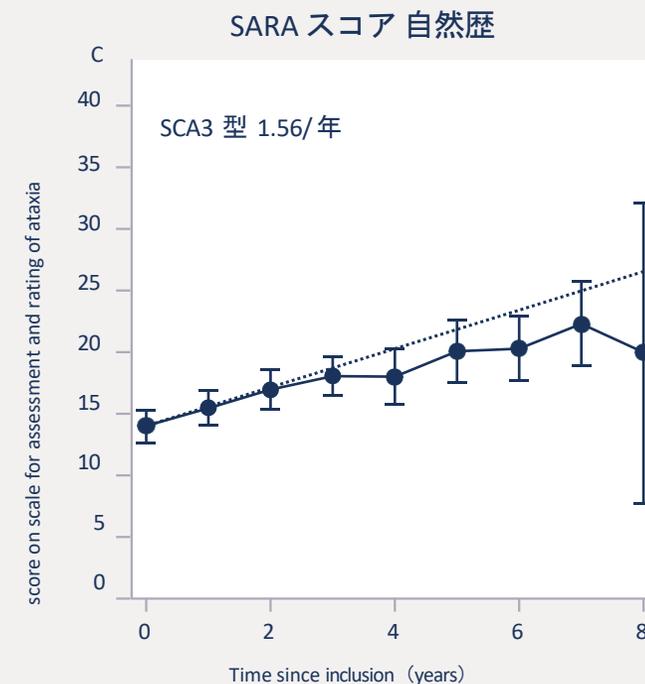
症状が進行すると、独立した歩行が困難となり、最終的には寝たきりとなり介護が必要となります。

現在、症状の進行抑制する効果的な治療薬がなく、治療法は確立されていません。臨床症状の進行抑制効果の意義は大きいと考えられます。

SARA 評価項目
歩行
立位
坐位
言語障害
指追い試験
鼻一指試験
手の回内・回外運動
踵-すね試験



Schmitz-Hübisch, T et al. Neurology vol. 66,11 (2006): 1717-20.  
Kim, Bo-Ram et al. Annals of rehabilitation medicine vol. 35,6 (2011): 772-80.



Jacobi H, du Montcel ST, Bauer P, et al. Lancet Neurol.2015;14(11):1101-1108.

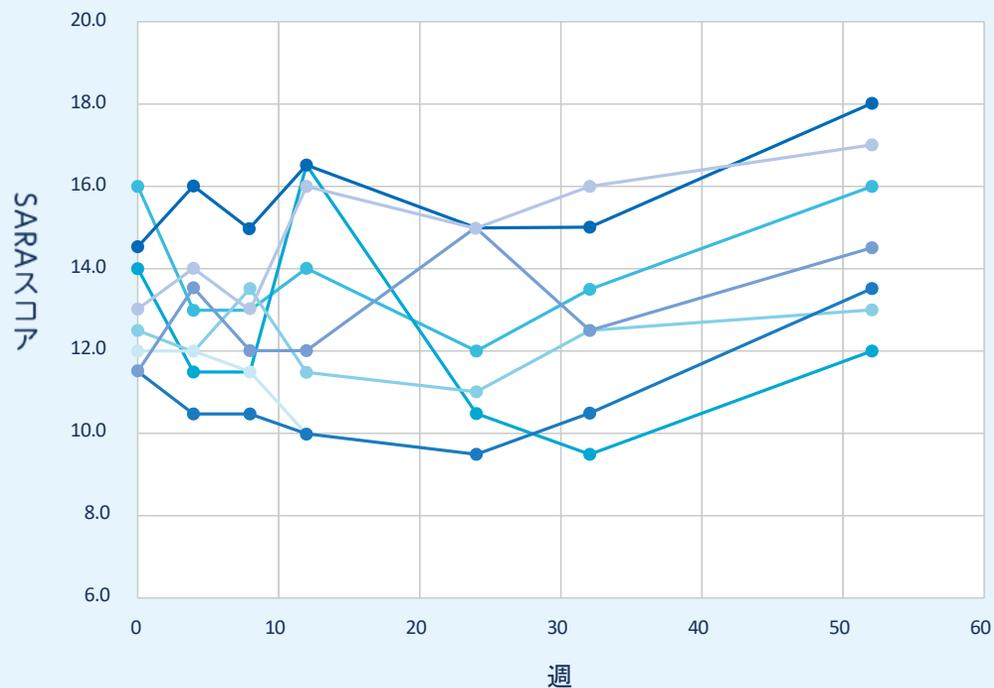
# ① 日本・台湾の第Ⅱ相臨床試験のデザイン

	日本	台湾
基本デザイン	脊髄小脳変性症に対するステムカイマルの安全性及び有効性の評価 プラセボ対照、ランダム化、二重盲検、並行群間比較試験	
治験製品	ステムカイマル（同種脂肪由来間葉系幹細胞）	
登録被験者数	59	56
施設数	10	1
投与回数	3回（0, 1, 2ヶ月）	3回（0, 1, 2ヶ月）
観察期間	52週	60週
有効性（主要評価）	SARA スコア変化量	SARA スコア変化量

# ① SARAスコアの変化 (プラセボ群vsSTEMカイマル群)

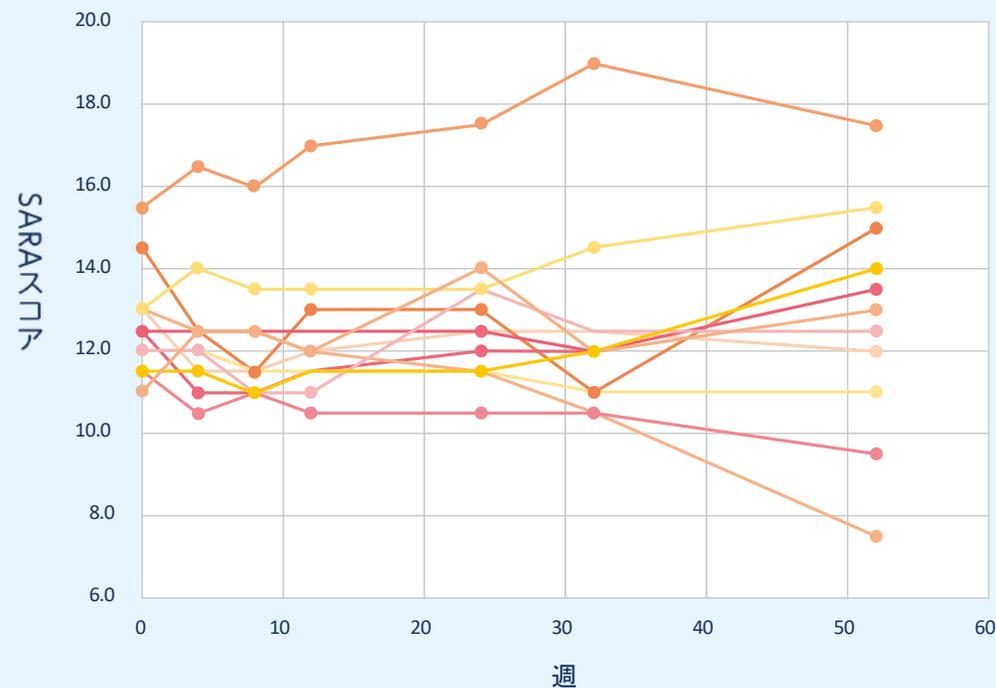
## ■ プラセボ群

V2/SARA $\geq$ 11.0, PCB



## ■ STEMカイマル群

V2/SARA $\geq$ 11.0, STM



\* ベースラインSARAスコアが11.0以上の患者

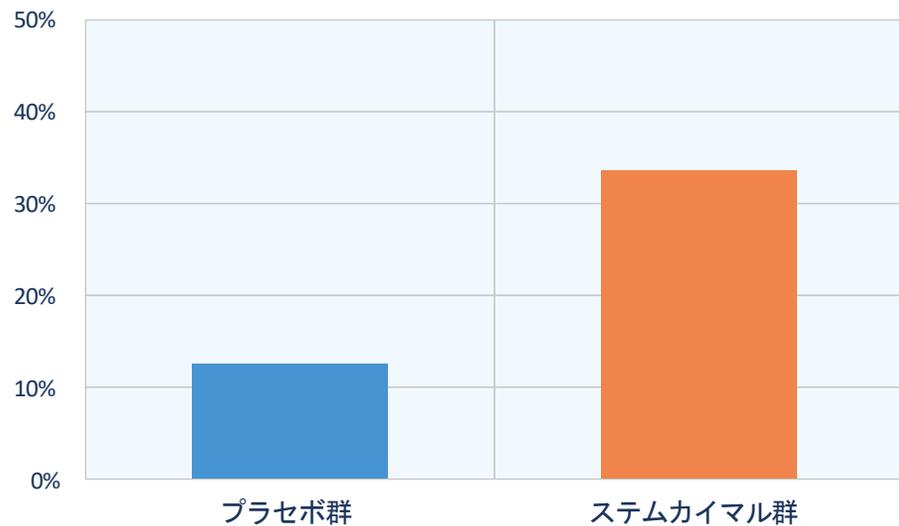
# ① SARAスコアの改善割合

日本データ



V2/SARA $\geq$ 11.0

プラセボ群 8  
 ステムカイマル群 12

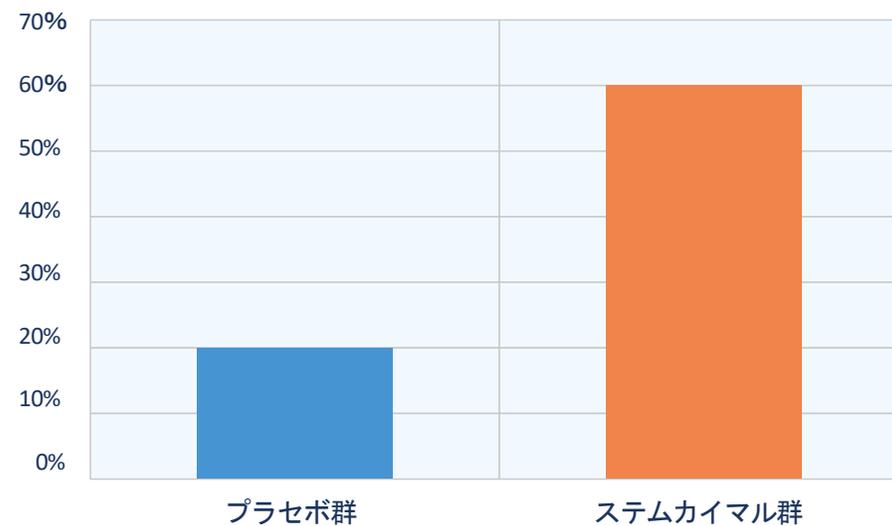


台湾データ



V2/SARA $\geq$ 10.0

プラセボ群 6  
 ステムカイマル群 10

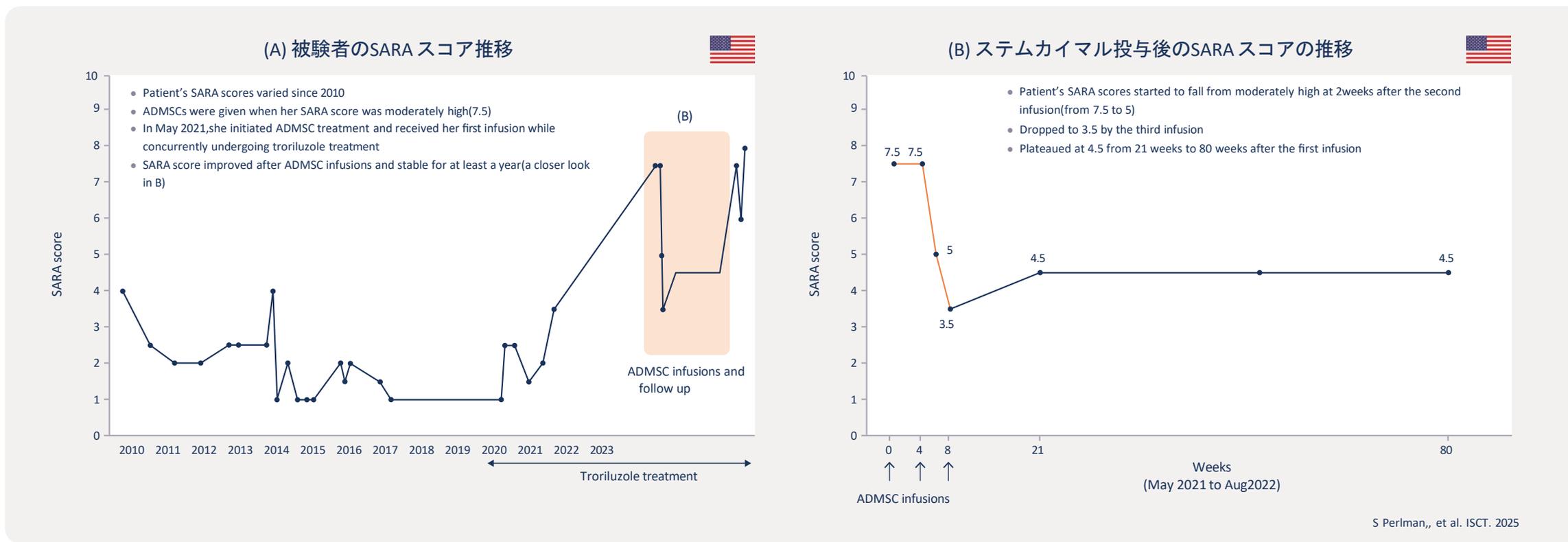


\*台湾:SCA3のみ

SARAスコアの改善割合：投与前と比較して投与1年後のSARAスコアが改善した（SARAスコアの変化量がマイナス）患者の割合

# ① 米国臨床試験におけるステムカイマルの長期観察結果

- 2025年5月、国際細胞・遺伝子治療学会 (ISCT) において、UCLA 臨床神経学 Susan Perlman 教授により発表。
- SCA3 患者1名へのステムカイマルを投与後（日本・台湾治験同様、4週間おきに3回投与）の長期観察試験を実施。
- ステムカイマルの投与後、SARA スコアが、7.5 から 3.5 まで改善し、その後、約1年半にわたり安定した状態が維持された。本治療による運動機能の改善と長期的な安定性が示唆された。



# ① ステムカイマルの競合分析

脊髄小脳変性症を対象とした当社パイプラインのステムカイマルについて、  
 既存薬よりも高い有効性が示唆された場合は既存薬から置き換わるものと考えています。※1

	ステムカイマル (当社パイプライン)	セレジスト (既存薬)
薬価※2	~14 百万円	973.5 円
対象患者数※3	7,500人 - 25,000人	25,000人
投与方法	静脈注射 3 回/ 年	2 錠服用/日
売上規模※4	190 億円~	100 億円

※1 : 既存薬の有効性に関する参考論文 (Norihiro Takeichi, Equilibrium Res Vol. 73(2) 47~54, 2014)。

※2 : ステムカイマルは 1 治療 (3回投与) あたり、セレジストは 1 錠剤あたりの薬価となります。

※3 : ステムカイマルは遺伝性疾患のみを対象とした場合と遺伝性以外 (孤発性) を含んだ場合のレンジとなります。

※4 : ステムカイマルはピーク時のシェアを仮に60%と仮定した場合の見込みとなります。セレジストは2017年の販売実績となります (田辺三菱製薬 (株) HPより)。

## ② iPS 神経グリア細胞の概要

### 臨床試験の準備段階

当社の最先端のiPS細胞技術を活用し、ALSの治療を目指した iPS神経グリア細胞の研究開発を進めています。

# 1

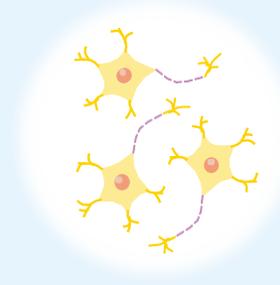
## iPS細胞の樹立



適格性が認められたドナーから iPS細胞を樹立。

# 2

## iPS神経グリア細胞の作製



iPS細胞を分化誘導し、グリア細胞の前駆体であるiGRPを作製。

# 3

## 移植



(ALS)

iGRPを移植することで運動ニューロンが活性化することによる運動機能の改善を期待。

## ② iPS 神経グリア細胞の対象疾患と作用機序

### 筋萎縮性側索硬化症(ALS)

体を動かすための神経系（運動神経）が変性してしまう病気です。これにより脳から「筋肉を動かせ」といった命令が伝わらなくなり、筋肉がやせていきます。運動神経のみが変性するため、意識や五感は正常であり、知能の低下もありません。病状の進行が極めて速い一方で、有効な治療法は確立されていません。日本では指定難病とされています。



故スティーブンホーキング博士



患者数



米国  
約3万人

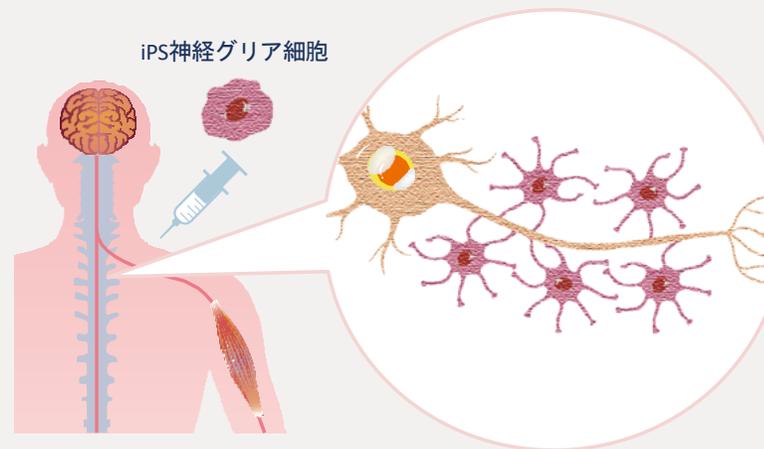


日本  
約1万人

出所：難病情報センター、NIH Webサイトを参考に当社作成

### iPS 神経グリア細胞の作用機序

ALS の病態として、運動ニューロンの支持細胞である神経グリア細胞における異常が、運動ニューロンの細胞死を引き起こすことが明らかとなってきています。iPS 神経グリア細胞には、成長因子の供給、毒素除去、及び免疫反応の調整などを通じて、ALS における運動ニューロンの細胞死を抑制し、その機能を保護する役割があると考えられています。



## ② iPS 神経グリア細胞の将来展望

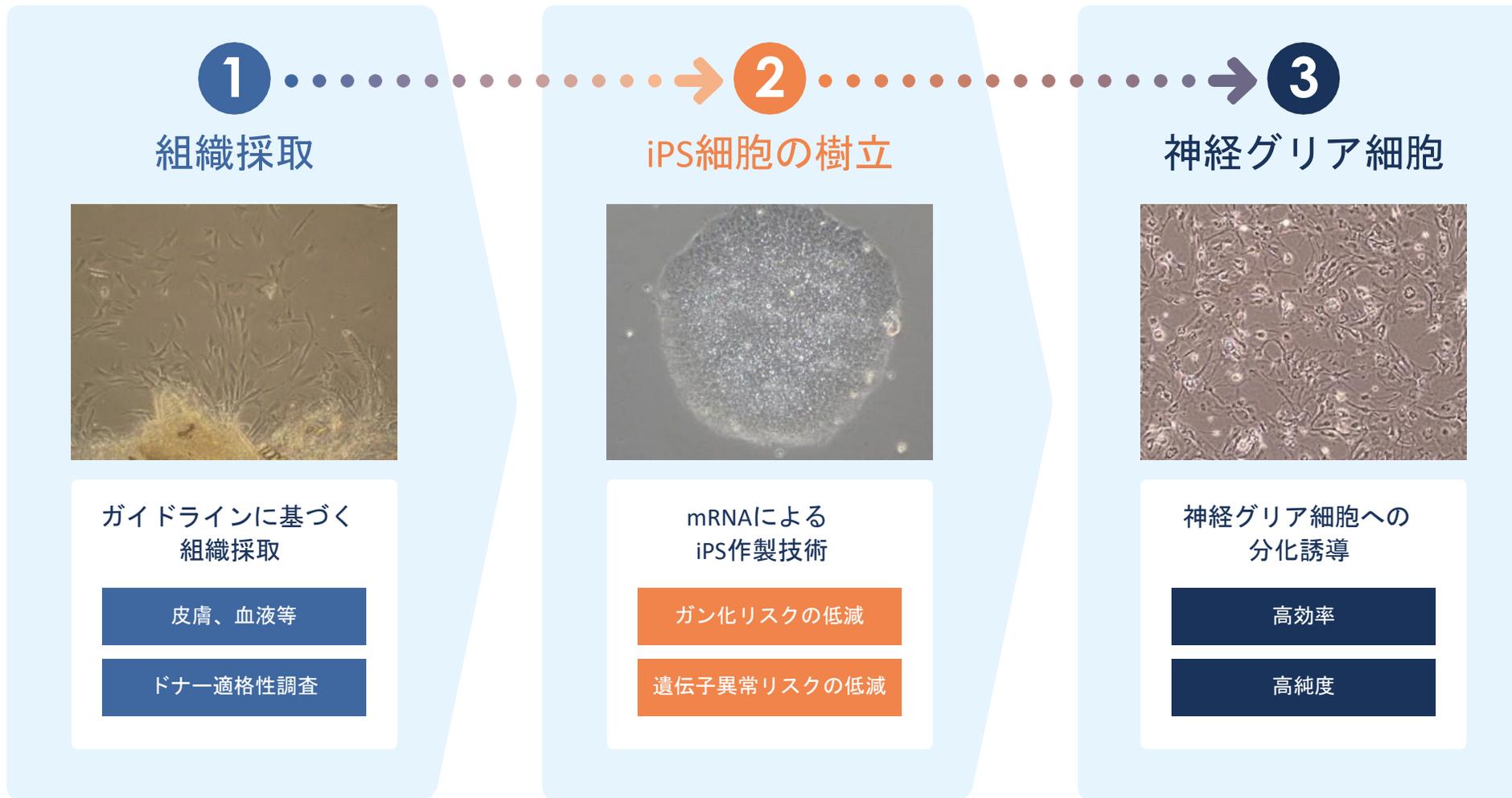
ALS、横断性脊髄炎だけでなく、将来、様々な神経変性疾患への適用拡大を目指します。

iPS神経グリア細胞のターゲット疾患の米国における統計データ※

	優先的に開発に着手		今後の展開				
	ALS	横断性脊髄炎	脊髄損傷	ハンチントン病	多発性硬化症	パーキンソン病	アルツハイマー病
患者数（人）	30,000	44,000	280,000	30,000	400,000	1,000,000	5,000,000
年間発症者数（人）	5,600	1,700	12,000	1,500	10,400	—	—
年間社会負担	1,100億円	1,200億円	6,600億円	—	6,600億円	16兆円	110兆円

※出所：アメリカ国立衛生研究所（National Institutes of Health; NIH）、クリストファー・アンド・デナ・リーブ財団麻痺障害リソース・センター、Q therapeutics社のwebサイトを参考に当社作成

## ② iPS細胞から神経グリア細胞の作製プロセス

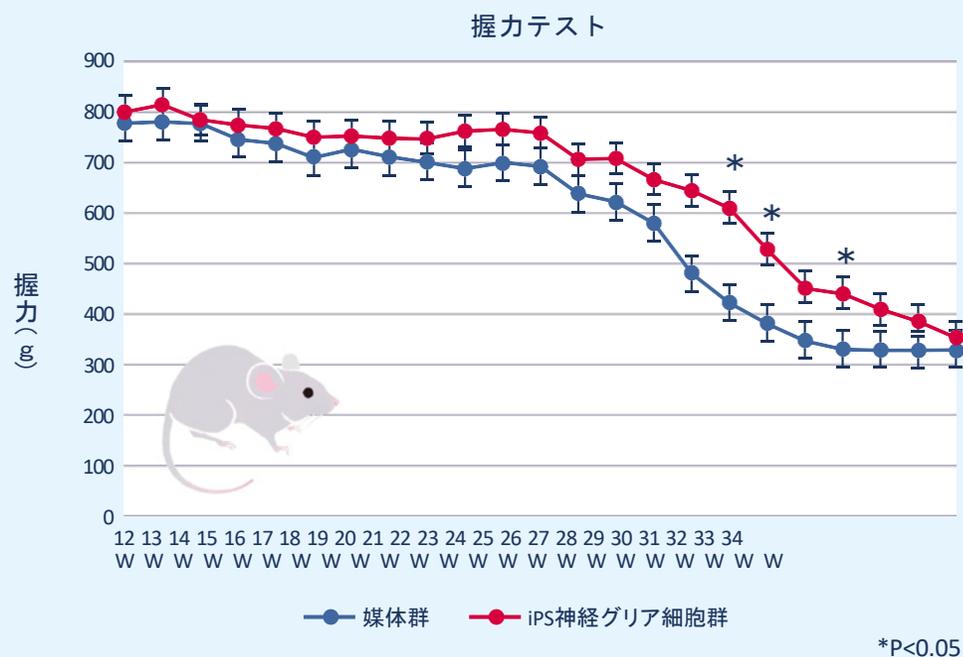


## ② ALSモデル動物を用いたiPS神経グリア細胞の移植実験

ALS患者の病態を再現したALSモデルラット（SOD1ラット）では、運動ニューロンが死滅して、運動機能障害が生じ、死に至ります。一方、iPS神経グリア細胞を移植したALSモデルラットでは、運動機能の改善がみとめられました。

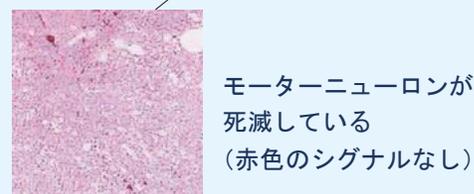
また、ALSモデルラットの脊髄内の運動ニューロンも死滅することなく、維持されていることが確認されました。

### ■ 握力の低下抑制

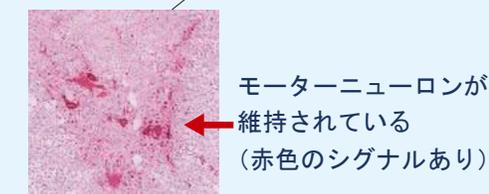
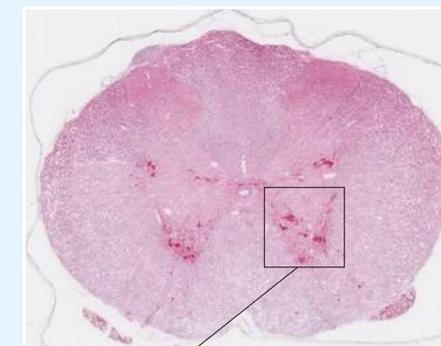


### ■ 脊髄内の運動ニューロンの生存維持

溶媒のみを移植したALSモデルラットの脊髄



iPS神経グリア細胞を移植したALSモデルラットの脊髄

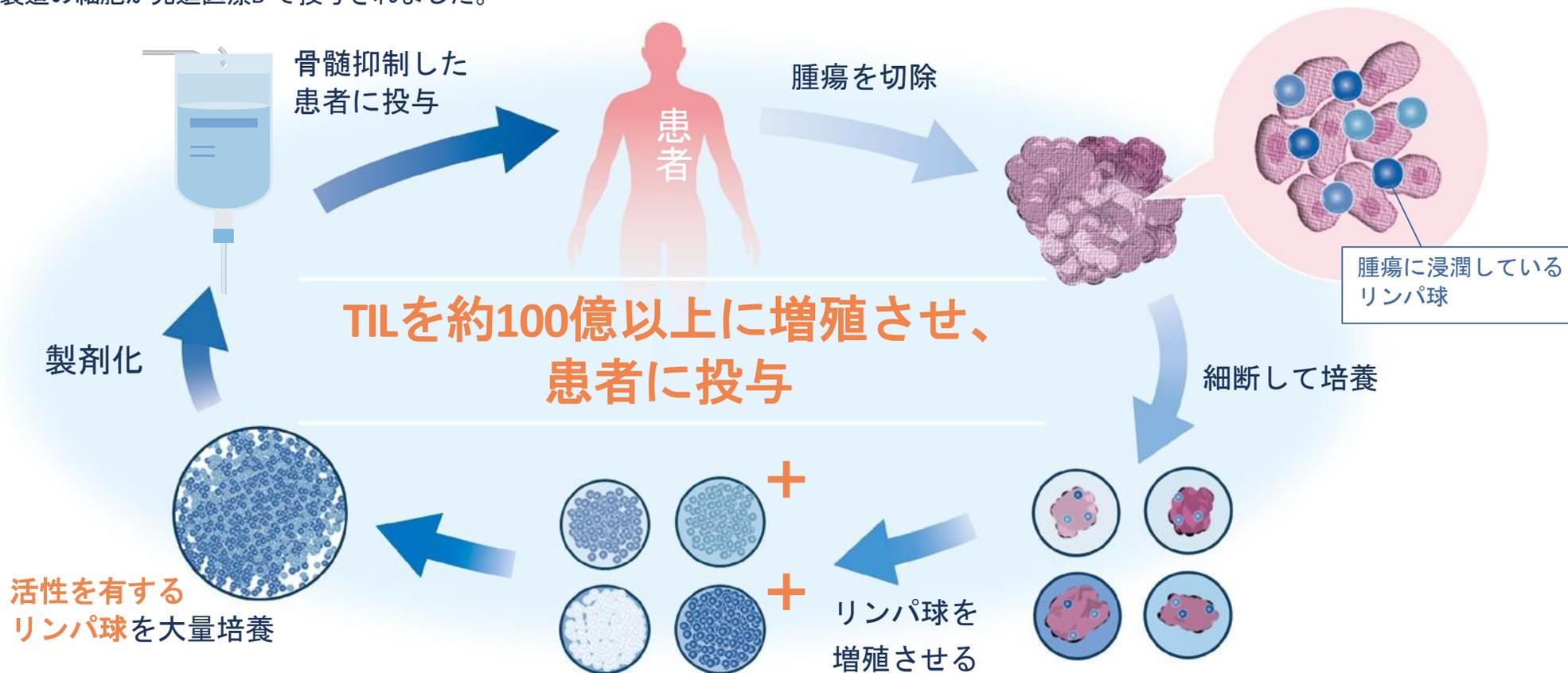


# ③ 腫瘍浸潤リンパ球（TIL）輸注療法

先進医療Bによる臨床研究を実施中

腫瘍浸潤リンパ球（TIL）輸注療法は、患者本人から採取した腫瘍組織に含まれる浸潤したリンパ球を体外で急速拡大培養し、患者に戻す養子免疫療法です。慶應義塾大学は「子宮頸がんを対象とした腫瘍浸潤リンパ球輸注療法」で先進医療として許可を受けています。

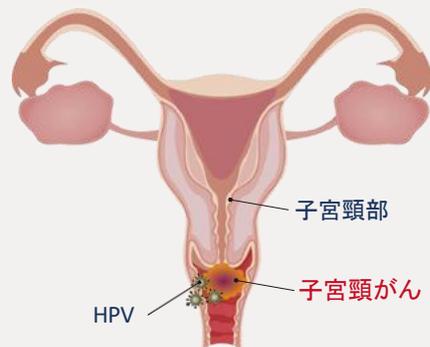
2024年11月、当社製造の細胞が先進医療Bで投与されました。



# ③ TIL 輸注療法の対象疾患と作用機序

## 子宮頸がん

子宮の出口付近である子宮頸部から発生するがんであり、その多くはヒトパピローマウイルス(HPV)の感染により罹患する病気です。最近では20~30歳代の若い女性に増えてきていますが、進行または再発したがんに対する根治療法は確立されておらず、効果的な新規治療法の開発が求められています。

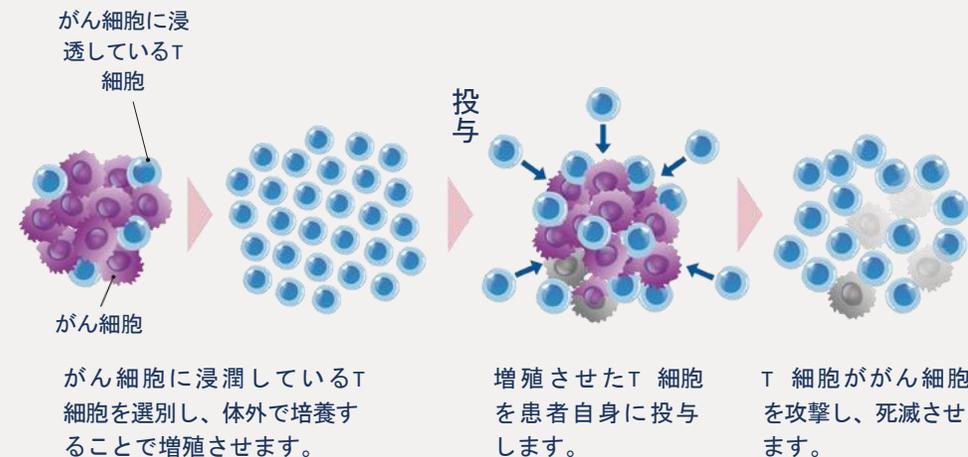


患者数  日本 約1万人

出所：難病情報センター、NIH Webサイトを参考に当社作成

## TILの作用機序

患者ががん組織に含まれる腫瘍を認識し浸潤したリンパ球、すなわち、がん特異的傷害能力を有するリンパ球を体外で急速拡大培養し投与します。投与後の TIL は体内のがんを認識し強力に殺傷します。



# ③ TIL輸注療法の臨床研究



2024年2月に、転移性メラノーマを対象としたTIL療法が、固形がんを対象とした初の細胞療法として米国FDAで承認されました。薬価は515,000ドルとなっています。

様々な固形がんに対する研究成果も報告されており、今後もさらなる対象疾患の拡大が期待されています。

## TIL輸注療法の臨床研究

対象疾患	著者	発表年	実施機関	対象人数 (人)	奏効率 (%)
転移性子宮頸がん	Stevanovicら	2015	National Cancer Institute (米)	9	33
進行性子宮頸がん	Jazaeriら	2019	University of Texas (米)	27	44
進行性メラノーマ	Dudleyら	2008	National Cancer Institute (米)	93	50~70
	Sarnaikら	2021	H. Lee Moffitt Cancer Center & Research Institute (米)	66	36
非小細胞肺癌	Creelanら	2022	H. Lee Moffitt Cancer Center & Research Institute (米)	16	69

1 Zhao Y, et al. Tumor Infiltrating Lymphocyte (TIL) Therapy for Solid Tumor Treatment: Progressions and Challenges. *Cancers (Basel)*. 2022 Aug 27;14(17):4160. PMID: 36077696.

2 Dudley ME, et al. Adoptive cell therapy for patients with metastatic melanoma: evaluation of intensive myeloablative preparative regimens. *J Clin Oncol*. 2008 Nov 10;26(32):5233-9. PMID: 18809613

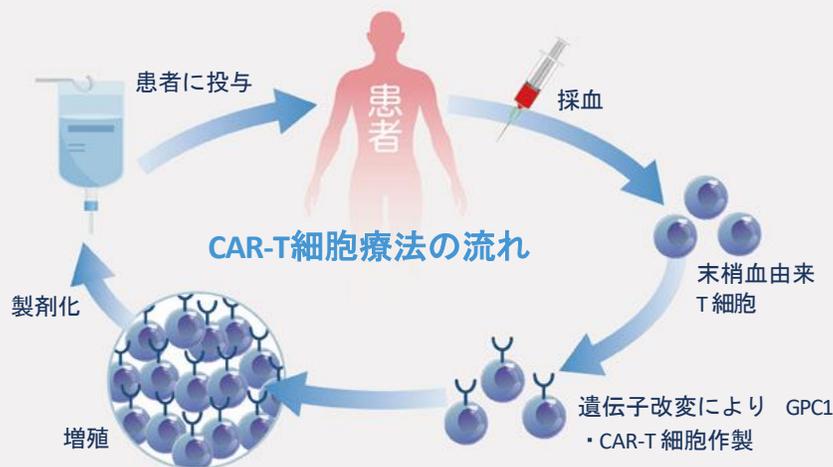
# ④ グリピカン1 CAR-T療法

## 臨床試験の準備段階

抗グリピカン-1・キメラ抗原受容体T細胞（細胞）療法は、患者自身のT細胞（免疫細胞）を取り出し、固形がんを認識できるよう遺伝子改変を行い、再度患者に投与して治療する免疫細胞 GPC-1・CAR-T 療法です。

### GPC1 CAR-T療法

患者本人から採取した血液からT細胞を取り出し、固形がんを標的とするGPC1・CAR-T遺伝子を導入して、体内に戻します。GPC1・CAR-Tは固形がんを認識し、攻撃します。



### 適応疾患

従来の CAR-T 療法は、白血病や悪性リンパ腫などの血液系のがんでは高い治療効果が認められ、既に承認されていますが、固形がんでは、CAR-T の良い標的が明らかでなく、治療効果が示されていません。そこで固形がんに対する CAR-T の標的として、GPC1 が新たに同定されました。GPC1 は、扁平上皮がんや膵がんといった固形がんで見られ、成人正常組織では発現がみられません。

がん細胞膜上のGPC1発現が確認できた症例とその割合

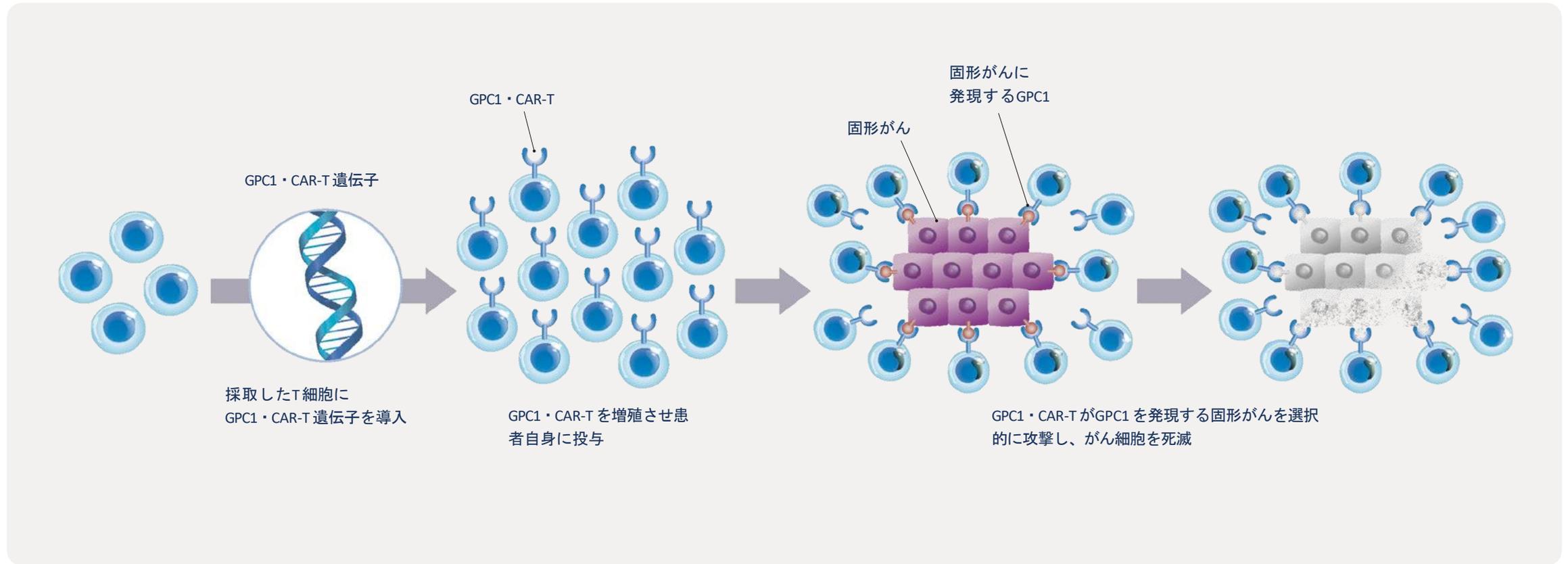


出典：BJC 2016; 115: 66-75、Int J Cancer 2018; 142: 1056-66、BMC Cancer 2015; 15: 352、Transl Lung Cancer Res 2021; 10(2): 766-75、Cancer Medicine 2017; 6(6): 1181-91

AMED 公募事業「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」の本支援を受け、研究開発を加速しております。京都大学大学院医学研究科早期医療開発学講座および国際医療福祉大学医学部免疫学との共同開発

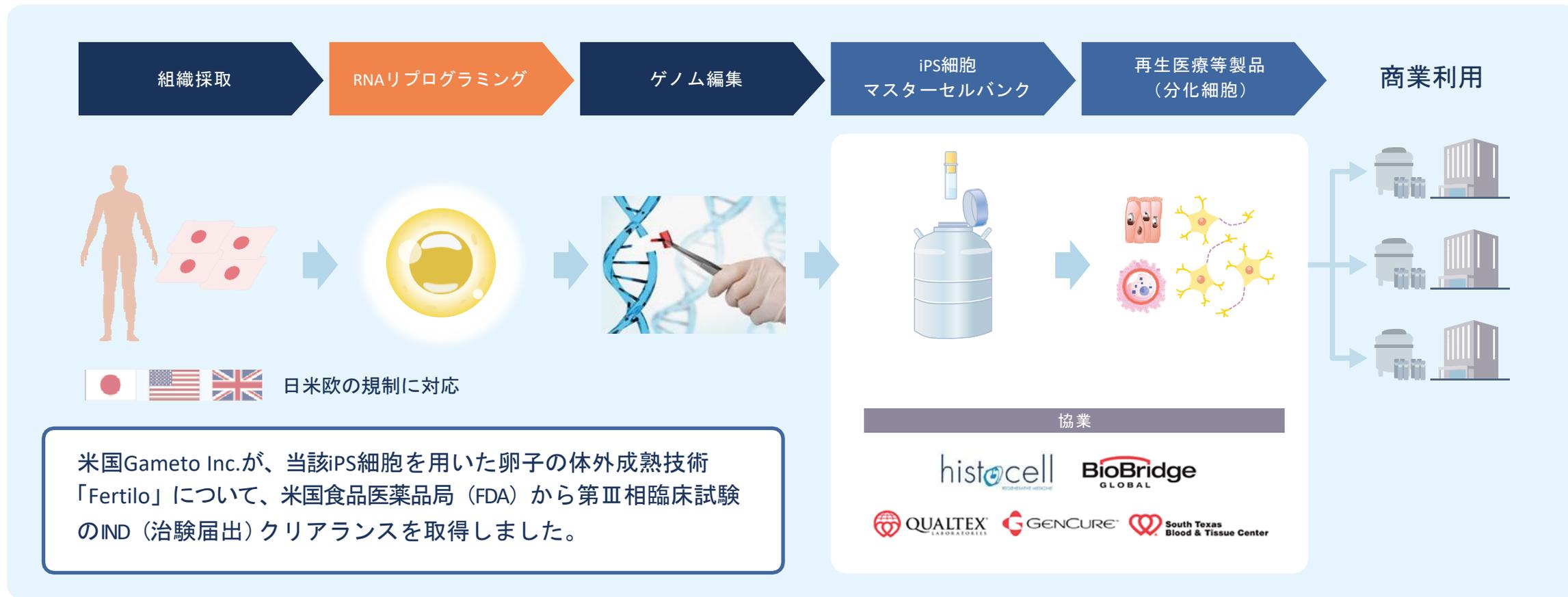
# ④ グリピカン1 CAR-T 療法の作用機序

患者から採取したT細胞を取り出し、GPC1を認識するモノクローナル抗体を載せたGPC1・CAR-Tを作成、大量培養し投与します。投与後のGPC1・CAR-Tは、食道がん等の固形がんに特異的に発現するGPC1を認識し、GPC1が発現しているがん細胞を選択的に攻撃、強力に殺傷します。

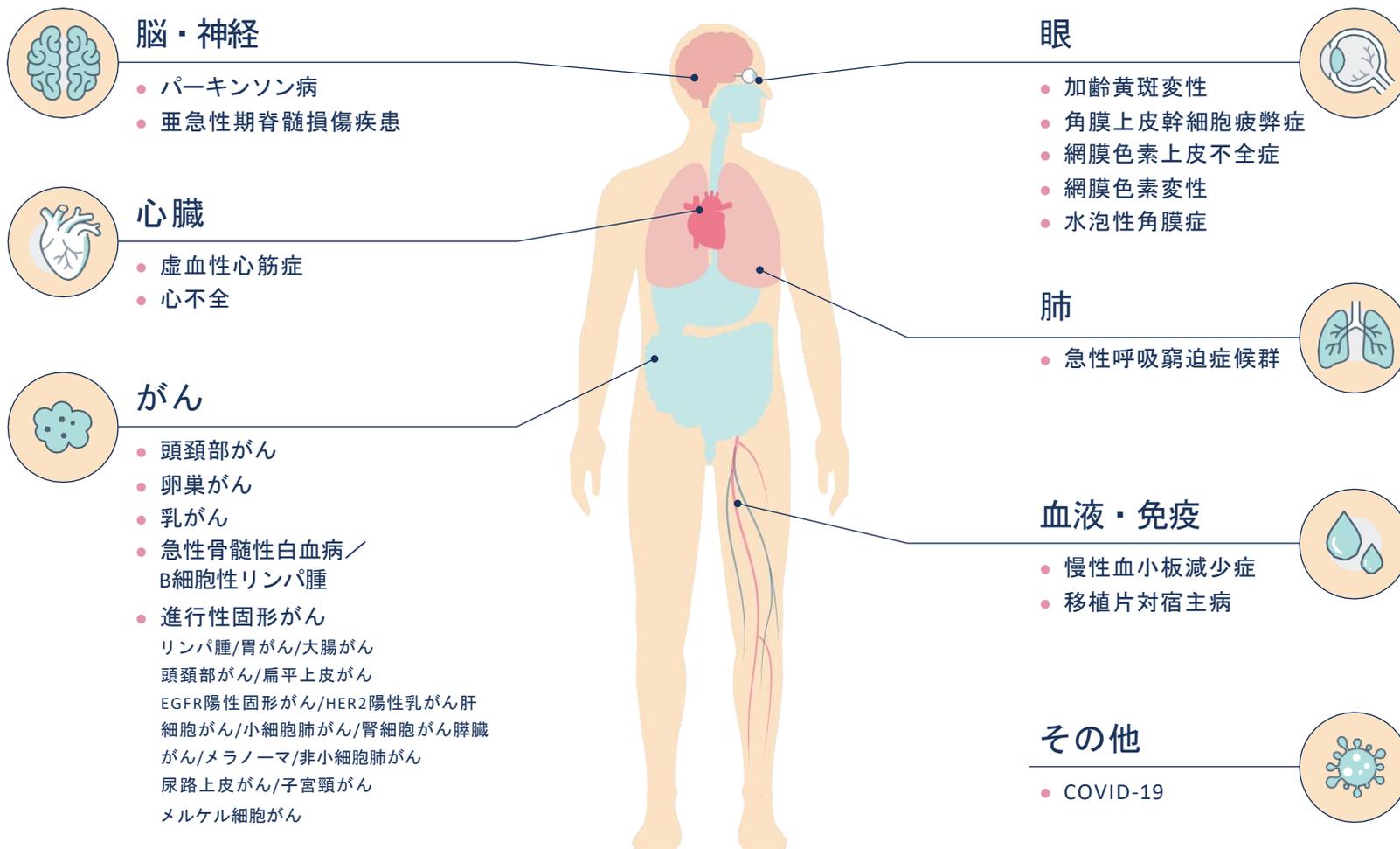


# iPS 細胞再生医療等製品の受託製造事業

日米欧の規制※に対応して、組織採取から再生医療等製品の製造までを一貫して実施できる体制を整えました。



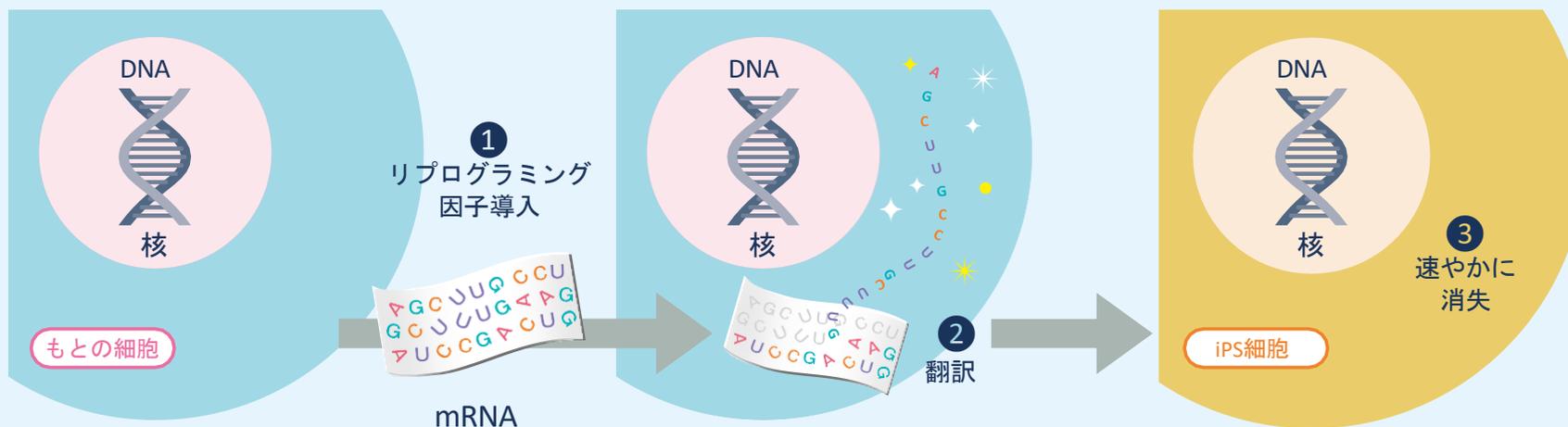
※日本ではPMDA（医薬品医療機器総合機構）、米国ではFDA、欧州ではEMAと各国/地域の規制機関の規制に対応しています。



# mRNA を用いたiPS 細胞作製技術

## mRNAは

- 核内に入らないので、元のDNAに変異を生じさせません。
- 速やかに消失し、iPS細胞内に残存しません。



### mRNAによるiPS作製

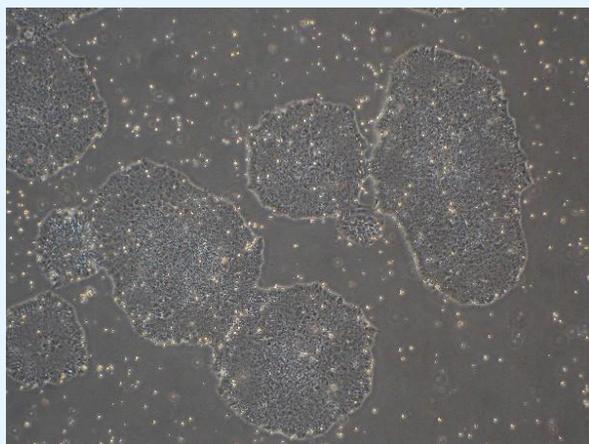
- ガン化リスクの低減
- 遺伝子異常リスクの低減

# 免疫拒絶リスクを大幅に低減するHLAノックアウトiPS細胞

独自の高効率ゲノム編集技術（CRISPR/Cas9とは異なる手法）により、HLA(免疫の型)をノックアウト（消失）させることで、免疫拒絶反応を低減するiPS細胞の作製に成功しました。

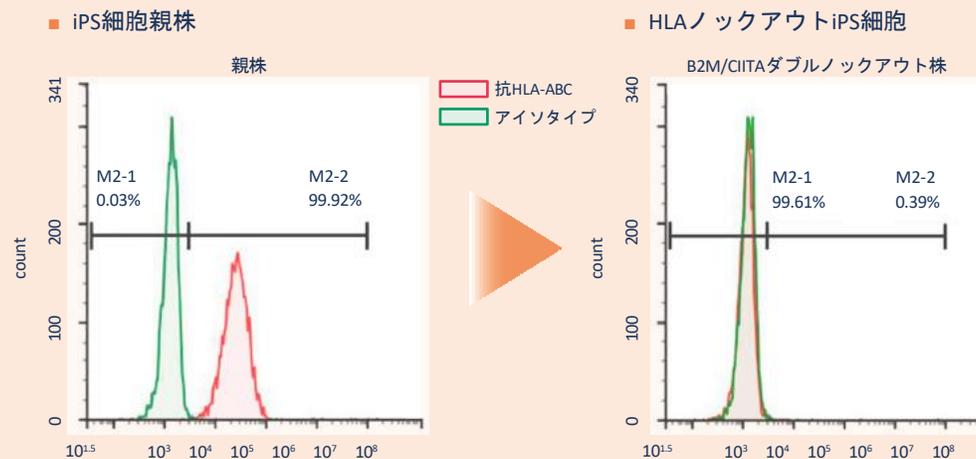
## 【本製品の特長】

- 高品質なゲノム編集：独自の高効率ゲノム編集技術（CRISPR/Cas9とは異なる手法）を採用。
- ホモ接合型ノックアウト：標的遺伝子の両アレルに変異を導入し、確実な発現抑制を実現。
- ライセンス：動物実験を含む基礎研究目的での使用には、追加のライセンスは原則不要です。（商用利用・臨床応用をご検討の場合は、別途ご相談ください。）
- 臨床グレード由来：高品質な臨床グレードiPS細胞株を親株として使用。

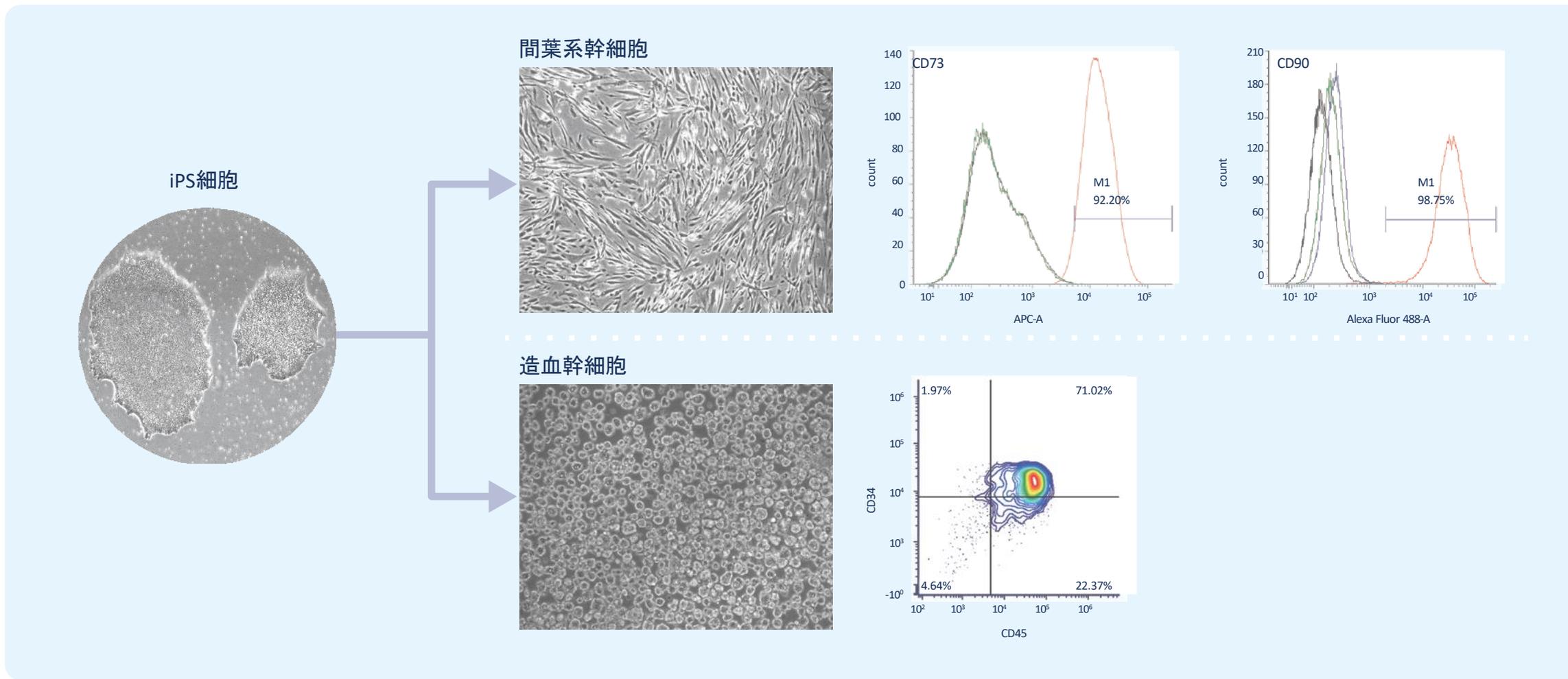


HLAノックアウトiPS細胞

フローサイト  
メトリーによる  
HLA class I の発  
現解析



# iPS細胞から間葉系幹細胞及び造血幹細胞への分化誘導



# 日米2拠点に再生医療用の細胞加工物施設

日本と米国の2拠点に再生医療用の細胞加工施設を完備しています。

## 殿町・リプロセル再生医療センター



特定細胞加工物製造許可（施設番号FA3200006）

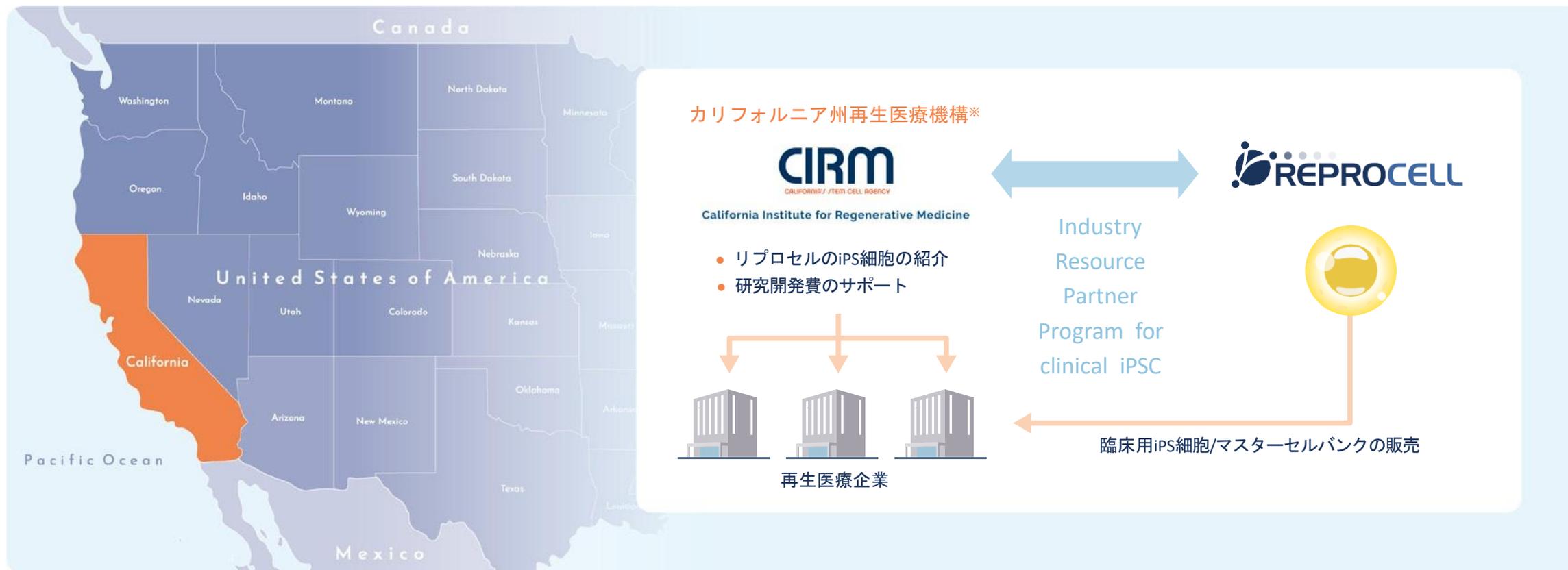


## 米国メリーランド州GMP細胞加工施設



# カリフォルニア州再生医療機構とのパートナープログラム

カリフォルニア州再生医療機構（CIRM）と臨床用iPS細胞の提供に関する基本契約を締結しました。本プログラムを通じて、CIRMの支援する再生医療企業へ当社の臨床用iPS細胞を提供してまいります。



※CIRMは再生医療を推進する公的機構で、将来性がある再生医療技術への研究開発、臨床応用への融資を行っています。55億米ドル（1ドル=140円換算で7,700億円）の基金を設立し、現在160件以上のプログラムを支援しています。世界最大規模の機構です。

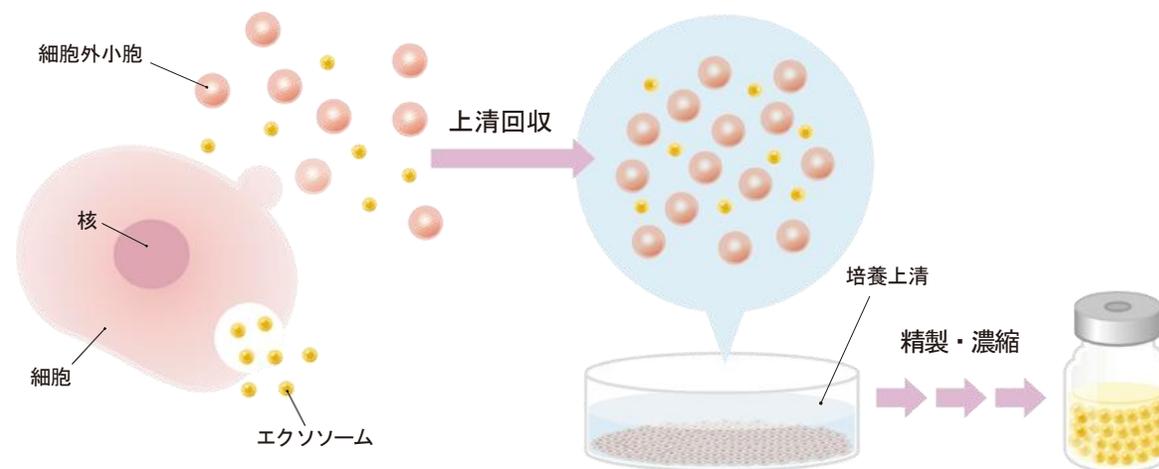
## エクソソームとは？

細胞からは様々なサイズの物質が分泌されています。細胞から分泌される50nm-5000nm ほどの細胞外小胞のうち、50-150nm のものをエクソソームと呼びます。

エクソソームは、核酸やタンパク質などを含んでおり、それらが細胞同士のコミュニケーション役になり互いに情報を伝達します。

## リプロセルの iPS エクソソーム

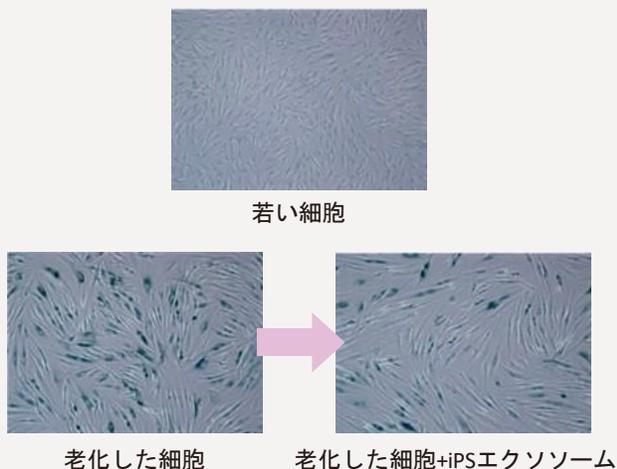
iPS細胞の培養上清を複数回精製してエクソソーム以外の成分を除去しています。そのうえでさらに濃縮を行い、高精製・高濃度のエクソソームを実現しました。



## 老化した線維芽細胞の老化マーカーを減少させる

細胞は培養を繰り返すと段々と老化し、増殖しなくなります。細胞実験において、老化した線維芽細胞（皮膚の細胞）は、老化マーカー（ $\beta$ -gal）を用いて検出することができます。ところが、老化した線維芽細胞に iPS エクソソームを添加すると、細胞の老化マーカーが減少することが報告されています。

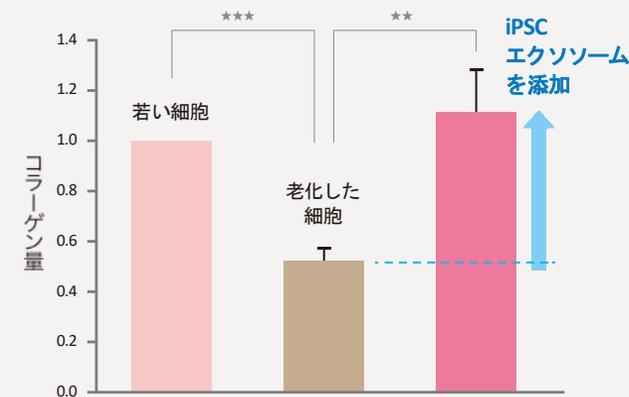
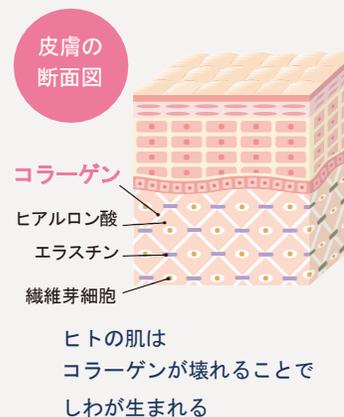
■iPSエクソソーム存在下と非存在下における老化マーカーの発現（細胞実験）



## 線維芽細胞のコラーゲン産生量を維持する

通常、線維芽細胞が老化すると、コラーゲンを産生する能力を失っていきません。細胞実験において、細胞培養を繰り返して老化した線維芽細胞も同じくコラーゲンを産生する能力を失いますが、そこに iPS エクソソームを添加するとコラーゲン産生量を維持することが報告されています。

■老化細胞におけるコラーゲン量の維持（細胞実験）



Oh M, et al., Int J Mol Sci. 2018;19(6):1715より一部改変

# 郵送検査キット ウェルミル

未病の早期発見に  
自宅で手軽な検査を

WELLMILL

自宅で簡単!

男性・女性ホルモン  
更年期、妊活、ストレス  
郵送検査

唾液

血液

悩み別の検査キットで  
ホルモン数値を見える化

<p>唾液でできる 男性更年期検査キット (テストステロン)</p> <p>男性向け</p>	<p>女性更年期検査キット (エストロゲン〈エストラジオール〉 fSH)</p> <p>女性向け</p>
<p>唾液でできる ストレス検査キット (コルチゾール)</p>	<p>妊活検査キット ~AMHフルセット~ (AMH・エストロゲン〈エストラジオール〉 fSH)</p> <p>女性向け</p> <p>AMHフルセット</p>

B to B 市場



福利厚生

フェムテック

特保取得

臨床試験



オンライン診療



① 会社概要

② 事業環境

③ 研究支援事業

④ メディカル事業

**⑤ 成長戦略**

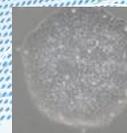
⑥ 認識するリスク及び対応策

## 日本のiPS細胞を世界へ

日本、米国、英国、インドの拠点を最大限活用し、  
グローバルに再生医療事業を展開します。



REPROCELL  
Europe



REPROCELL  
Inc.



Bioserve  
Biotechnologies  
India



REPROCELL  
USA



積極的な  
グローバル化の推進

研究支援とメディカルによる  
連続的な成長シナリオ

オープンイノベーションによる  
技術優位性の確保

当社は、希少疾患を対象とした再生医療等製品に特化し、大手製薬企業とは異なる領域で、当社の強みを生かした事業推進を行っています。

	当社 (リプロセル)	大手製薬企業
製品	再生医療等製品	低分子・核酸・抗体医薬品等
対象疾患	希少疾患（オーファン）	三大疾病（がん、心疾患、脳卒中）等
患者数	数万人	数百万～数千万人
メリット	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 中規模な治験費用</li> <li>● オーファン補助金により治験費用をカバー</li> <li>● 条件及び期限付き承認により早期販売が可能</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 上市後は大規模な収益</li> </ul>
デメリット	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 上市後は中規模な収益※</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>● 大規模な治験費用</li> <li>● 長期の治験期間</li> </ul>

※一般的には、希少疾患は患者数が少ないため、製薬会社の採算が取れない場合がありますが、再生医療等製品の薬価は高い傾向にあり、採算の確保は可能と想定しています。

# 前期の事業進捗まとめ

iPS関連サービスや機器販売が好調で、売上24.1億円、利益6.2億円に増加しました。



再生医療製品開発（ステムカイマル、iPS神経グリア細胞、TIL療法など）と郵送検査「ウェルミル」の拡大で売上5.6億円に増加しました。

① 脊髄小脳変性症治療薬「ステムカイマル」、② 神経変性疾患向け「iPS神経グリア細胞」、③ がん免疫「TIL療法」、④ 固形がん向け「GPC-1 CAR-T療法」の4つのパイプラインで、次世代医療を推進します

## [研究支援事業]

TIL療法については、2024年11月より慶應義塾大学で先進医療が再開され、当社が製造したTILを用いた2例目の患者への投与が実施されています。2026年までに計10名を対象に実施予定です。

Personal iPS



GMP-iPS細胞  
マスターセルバンク

## [メディカル事業]



グリピカン1 CAR-T療法は、食道がん等の固形がんを対象とした療法で、2024年12月にAMED公募事業「GPC-1陽性再発・難治固形癌に対する新規GPC-1 CAR-T療法の開発」に採択され、開発が本格化しました。

ステムカイマルについては、日本では2022年5月に第II相臨床試験を完了し、データ解析中、承認申請準備中です。2024年11月にはステミネント社が外国製造業者認定を取得しました。



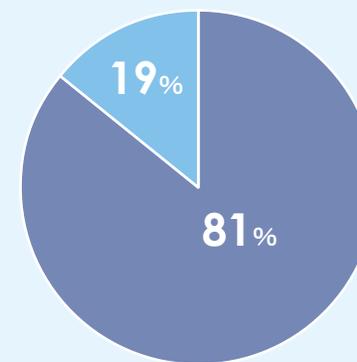
2024年度の売上高は上場以来の**過去最高額**を記録しました。

特に、REPROCELL USA Inc.での研究試薬などの販売事業や、REPROCELL Europe Ltd.でのヒト組織アッセイの販売事業の売上が想定を上回って推移しました。また、メディカル事業では、当社およびREPROCELL USA Inc.における臨床用iPS細胞製品の販売事業の売上が想定以上に好調でした。



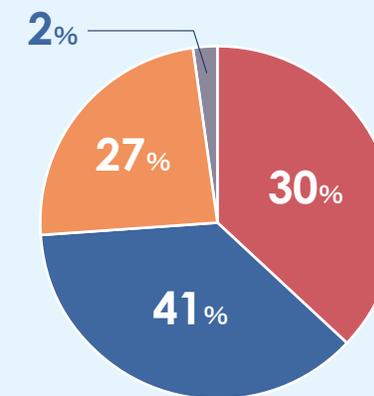
(百万円)	2024年 3月期 (実績)	2025年 3月期 (実績)	前年比	2026年 3月期 (予想)
売上高	2,426	2,978	+551	3,037
営業利益	▲409	▲130	+279	▲268
経常利益	40	45	+5	▲75
当期純利益	▲31	103	+134	▲75
研究開発費	384	536	+151	744

2025年3月期  
セグメント別売上比率



■ 研究支援事業 ■ メディカル事業

2025年3月期  
地域別売上比率



■ 日本 ■ 米国 ■ 英国 ■ インド

経営上重視している指標として、売上高の拡大及び  
経常利益の黒字化を目指し、事業を推進しております。

※本資料の昨年度版では事業別売上比率を掲載しておりましたが、当社では基本的に上記セグメント別で業績管理・対外開示を行っているため、本資料よりセグメント別売上比率に変更しました。

## 2025年3月期 予想と実績値の比較

2024年5月13日付で開示しました2025年3月期連結業績予想は、2025年5月12日付開示にて下記の通り修正しております。

(百万円)	2025年3月期 期初予想	2025年3月期 予想 (2025年5月12日開示)	2025年3月期 実績	変動要因
売上高	2,661	2,978	2,978	主に米国・欧州子会社における研究支援事業や当社・米国子会社におけるメディカル事業の販売好調によるもの
営業利益	▲325	▲113	▲130	主に売上高の増加および利益率の高い製品の販売増加によるもの
経常利益	▲174	62	45	
当期純利益	▲174	120	103	主に米国子会社における将来の利益予測に基づき繰延税金資産の計上によるもの

## 1 事業拡大

研究支援事業において、高付加価値な研究サービス（iPS細胞創薬モデル、遺伝子編集、3次元モデル）と創薬スクリーニング技術のプラットフォーム提供に注力し、iPS細胞の創薬応用ニーズに応えることで、安定的な収益基盤を獲得します。

一方で、中長期的な成長ドライバーであるメディカル事業において、臨床用iPS細胞（GMP-iPS細胞マスターセルバンク）及びiPS細胞再生医療等製品の受託製造事業、パーソナルiPS、腫瘍浸潤性リンパ球輸注療法、臨床検査（郵送ホルモン検査「ウエルミル」、製薬企業の臨床試験における検査受託サービス）を大きく伸ばすことで、持続的な成長を実現してまいります。

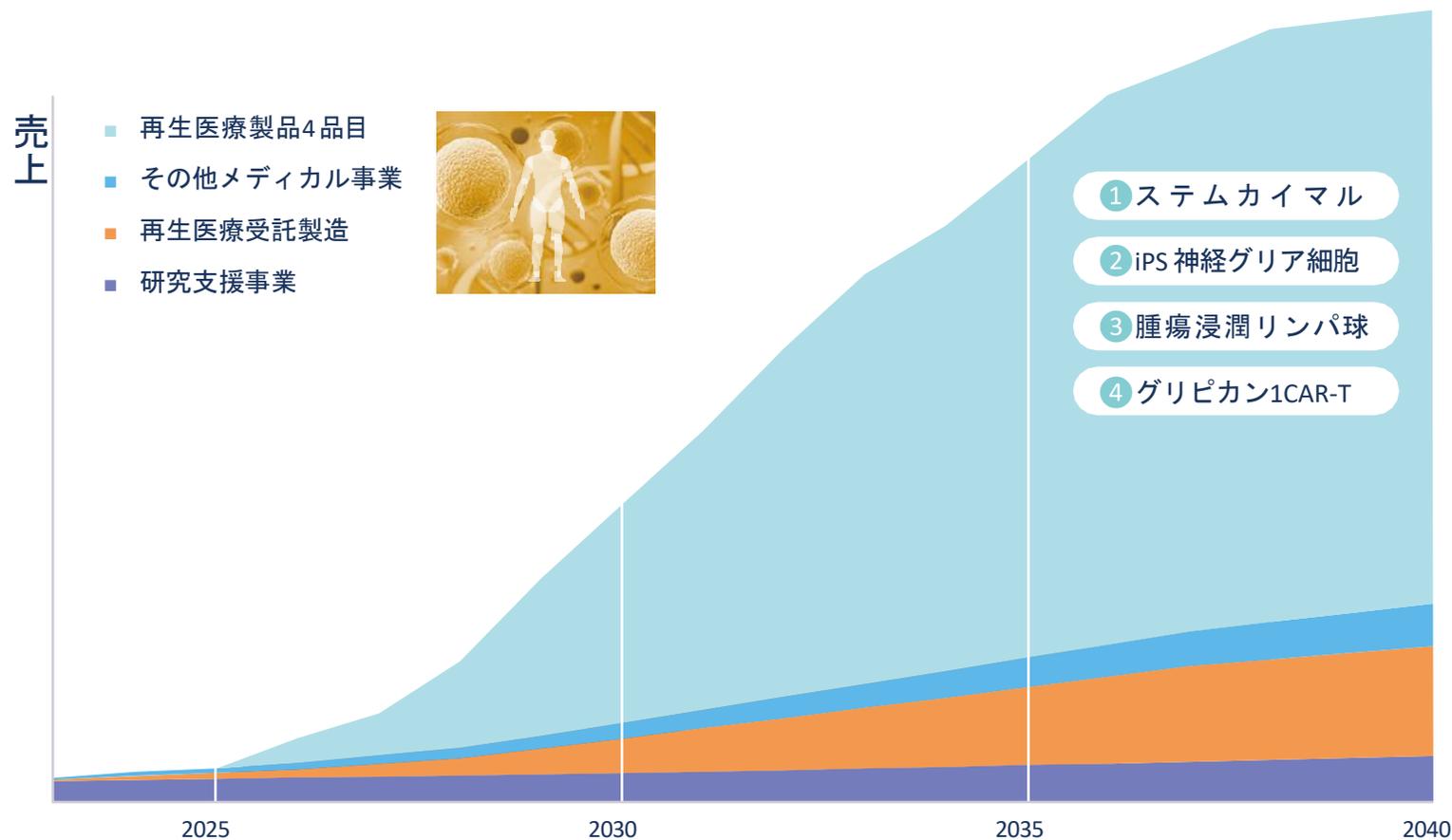
## 2 為替

為替を一定の水準として推移することとして策定しており、為替損益を業績予想に織り込んでおりません。本業績見通しにおける外国為替レートは、

1米ドル=140円、1英ポンド=180円、1印ルピー=1.65円を前提としております。

# 中長期成長イメージ

研究支援事業及び再生医療受託製造で安定的な収益を確保し、再生医療製品4品目の上市により飛躍的な成長を実現します。



# 資金調達（第三者割当による新株予約権）

モルガン・スタンレーMUFG証券株式会社を割当先とした、新株予約権の第三者割当の発行を2023年12月5日に決議しました。本新株予約権により1,219百万円の資金調達が完了しております（2025年1月に残存する本新株予約権の全部を取得・消却済み）。

（単位：百万円）

具体的な資金用途	調達金額	25年5月までの 充当額	支出予定時期
① 新規パイプラインの導入及び治験に係る費用	1,121	75	2024年4月～2029年3月
② 運転資金等	98	62	2024年1月～2026年3月
合 計	1,219	137	

① 会社概要

② 事業環境

③ 研究支援事業

④ メディカル事業

⑤ 成長戦略

**⑥ 認識するリスク及び対応策**

# 認識するリスク及び対応策

主要なリスク	顕在化の可能性 ／時期	顕在化した場合の 影響度	対応策
<p><b>競合リスク</b> iPS細胞の分野は、熾烈な研究競争が行われており、技術革新が速く、新規参入の動きが活発となっているため、従来の技術が陳腐化するリスク。 また、新規参入は大手企業を含めて増加しており、これら競合相手の中には、生産性や販売力、資金力で当社グループを上回る企業が含まれる可能性がある。</p>	<p>中／中長期</p>	<p>大</p>	<p>当社グループは、世界的な大学や公的研究機関と連携し、常に世界最先端の技術開発に先行して取り組んでいる。</p>
<p><b>再生医療ビジネスに関するリスク</b> 現在当社グループでは、①体性幹細胞由来の再生医療製品 ステムカイマル、②再生医療向けiPS神経グリア細胞、③腫瘍浸潤性リンパ球輸注療法、④食道がん等の固形がん向けグリピカン1CAR-T療法の4つのパイプラインがあります。臨床試験において、想定外の有害事象の発生及び有効性が証明できないなどの理由で、治験の中止または承認が得られないリスク また、承認申請及び審査の過程で遅延が起こるリスク</p>	<p>中／中長期</p>	<p>大</p>	<p>①ステムカイマルの承認申請については実績が豊富な外部機関とアドバイザー契約を締結し準備を進めている。 ② iPS神経グリア細胞については前臨床の段階であり、前臨床の実績が豊富な外部機関と提携し開発を進めている。 ③腫瘍浸潤性リンパ球輸注療法については、この分野で実績のある慶應義塾大学医学部産婦人科学教室と共同研究契約を締結しました。 ④グリピカン1CAR-T療法については、京都大学、国際医療福祉大学との連携のもと、薬事規制に準拠した非臨床試験の実施、品質・製造方法の確立を進めている</p>

※上記の主要なリスク以外の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」を参照

# 本資料取扱に関するご注意

本資料は当社の会社内容を説明するために作成されたものであり、投資勧誘を目的に作成されたものではありません。  
本資料における、業績予想ならびに将来予測は、本資料作成時点で入手可能な情報に基づき当社が判断したものであり、  
顕在化・潜在的なリスクや不確実性が含まれております。

そのため、将来の経済環境の変化等の様々な要因により、実際の事業の状態・業績等は影響を受けることが予想されます。  
次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は、2026年6月を予定しています。



株式会社リプロセル 経営管理部

〒222-0033 神奈川県横浜市港北区新横浜3-8-11メット  
ライフ新横浜ビル9F <https://reprocell.co.jp>