

事業計画及び 成長可能性に関する事項

2025.6

クオリップス株式会社

iPS細胞関連製品の製品化における 世界のトップランナーを目指して

クオリプスは、2017年に設立された、ヒトiPS細胞由来心筋細胞シートの再生医療等製品の研究・開発を行う企業です。

クオリプスのファーストパイプラインは、ヒトiPS細胞由来心筋細胞を作製しシート状に加工した「心筋細胞シート」で、人工心臓や心臓移植しかない虚血性心筋症の患者に対して、新たな治療法を提供すべく、研究・開発を進めています。治験の予定症例数(8症例)の移植は全て完了し、2025年4月に厚生労働省に対して製造販売承認申請を行いました。今後は、一日でも早くヒトiPS細胞由来心筋細胞シートを患者様に届けるべく役員・従業員一丸となり業務を推進してまいります。

また、クオリプスが持つ細胞培養技術を活かして、心筋細胞シートの効能追加、他分野への応用等にも取り組み、製品ポートフォリオの拡大に努めます。

クオリプスは、従来の枠組に囚われない自由な発想と俊敏な行動によって医療の新しい流れを切り開き、世界中の人々の健康と人生に貢献する、新たな医療を作り出していきます。



心臓(イタリア語)
= CUORE + 人工多能性幹細胞
iPS

企業概要

会 社 名	クオリプス株式会社
設 立	2017年3月
決 算 期	3月
代 表 者	草薙 尊之
本 店 所 在 地	東京都中央区
研 究 施 設	・大阪ラボ(大阪府吹田市) ・千里研究開発センター/細胞加工施設(CLiC-1) (大阪府箕面市)
事 業 内 容	iPS細胞由来心筋細胞シートの開発・事業化 CDMO事業
役 員 数	9名
従 業 員 数 (業 連 員 結)	56名(2025年3月31日現在)

ヒトiPS心筋由来心筋細胞シート ※ とは

ヒトiPS細胞由来心筋細胞シート(以下、iPS心筋シート)は、iPS細胞から心筋細胞への分化誘導を経て、大量作製及びシート化等の独自技術を用いて作製するもので、現在の内科的治療では治癒しない虚血性心筋症による重症心不全の治療を目的とした再生医療等製品です。

京都大学 iPS 細胞研究財団(山中伸弥理事長)と大阪大学大学院医学系研究科(澤芳樹名誉教授)の共同研究により製品化を目指しています。

iPS心筋シートを虚血心筋表面に貼付することで、豊富なサイトカインが心筋内に放出され微小血管の血流が改善され、ひいては心筋機能が改善することが期待されます。

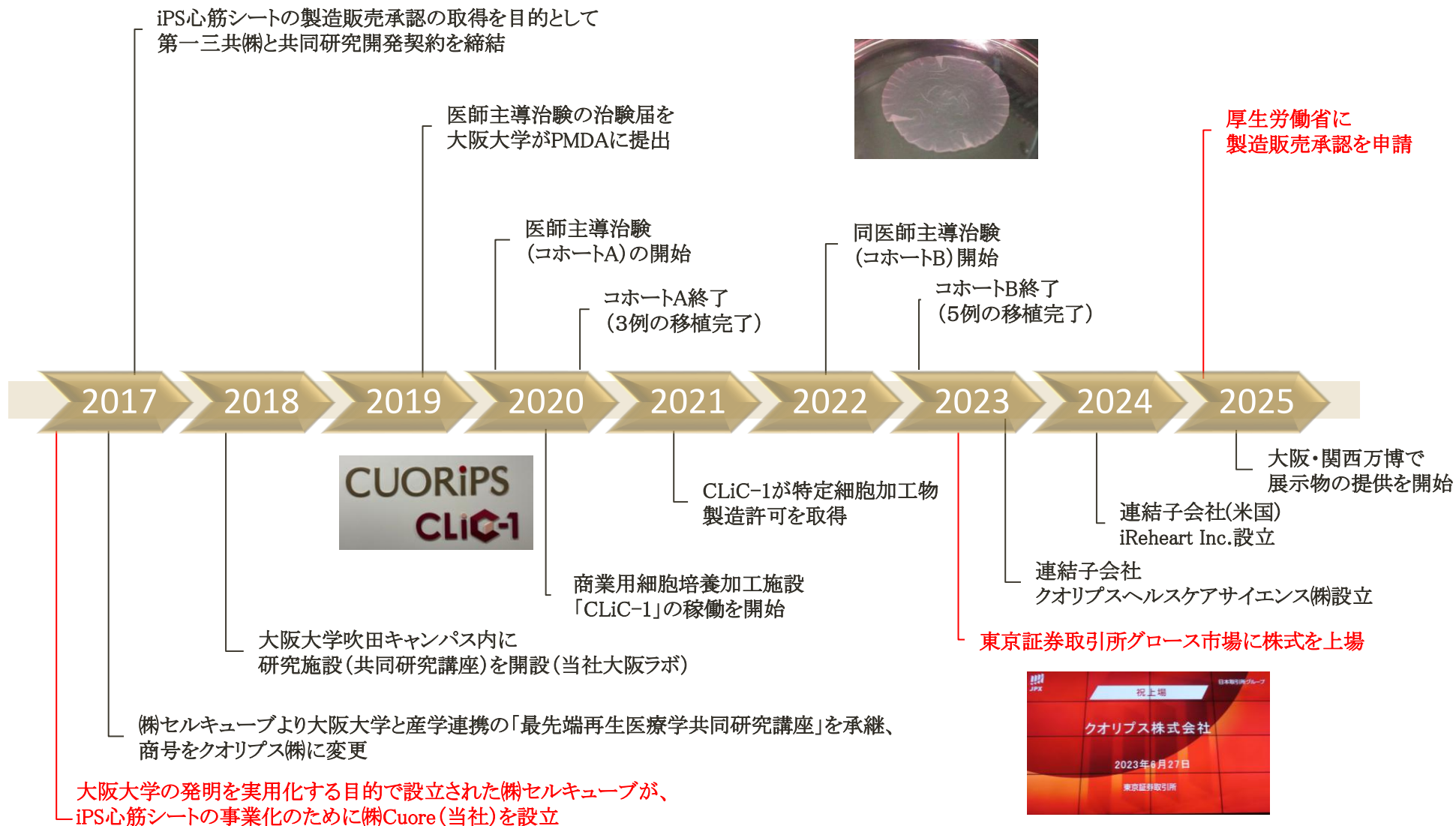
加えて、iPS心筋シート内の細胞が、患者の心筋と同期して伸縮することで、心機能を補助することも期待されます。

※現時点で開発中であり、特定の製品が存在するものではありません。



沿革

- 2017年3月に設立、2023年6月に東京証券取引所グロース市場に上場
- 2025年4月にiPS心筋シート(国内ICM)の製造販売承認申請



当社の特徴・強み

アカデミア、製薬企業、医療機器メーカー等を繋ぎ合わせ、
iPS細胞関連製品の製品化において世界で先頭を走る企業です。

1 心臓外科領域において40年近い経験を有する澤CTOの知見とネットワーク

iPS心筋シートの開発・販売において、適切な治験デザインの作成を可能とし、重要な医療機関、医師との強化なネットワークを確保
国内のみならず世界的な大学研究機関等との研究推進体制の整備、パートナー企業も多種多様

2 大阪大学との共同研究により培った再生医療等製品の開発ノウハウ

開発したiPS心筋シートの治験は完了し、2025年4月に世界初となるiPS細胞由来再生医療等製品の製造販売承認申請を実施

3 商用化を見据えた製造体制

再生医療等製品の生命線である製造施設を自社で保有

4 iPS心筋シートに限定されない成長ポテンシャル

iPS心筋シート以外の開発候補品も多数保有

澤 芳樹CTOの功績

澤CTO(大阪大学名誉教授)が中心となり、iPS細胞を用いた重症心不全治療の開発を推進しています

2000年	東京女子医科大学と細胞シートによる心筋再生治療研究開始
2008年	ヒトiPS細胞から心筋細胞への分化誘導に成功
2012年	大動物(ブタ)での有効性を確認、論文発表。 筋芽細胞シートを用いた重症心不全に対する治験開始
2013年	AMED「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」『疾患・組織別実用化研究拠点(拠点A)』に採択
2015年	臨床用iPS細胞株入手。独立行政法人 医薬品医療機器総合機構(以下、PMDA)へ製造方法や非臨床安全性試験について相談開始 (※テルモ社の筋芽細胞によるハートシートの、国内での製造販売承認)
2016年	臨床用iPS細胞のマスターセルバンクを構築
2017年	iPS心筋シートを用いた重症心不全に対する臨床研究の申請
2019年	iPS心筋シートを用いた医師主導治験の治験届提出
2020年	同医師主導治験 開始(1例目への移植)
2023年	同医師主導治験最終症例移植終了(合計8例)



ベストサイエンスとベスト医療で
患者を救う

心臓手術数
1,000件超

心臓移植数
100例超

人工心臓手術
400例超

■ マネジメントチーム

経営のみならず、医学・製薬・金融・経済・法律・会計の専門家から構成されるマネジメント陣

草薙 尊之

代表取締役社長 / CEO

- 1981年 日本興業銀行入行
- YMRアセットマネジメントCIO、
エントラスト㈱経営企画部長を歴任
- 2020年4月 当社アドバイザー就任、同年8
月 代表取締役社長就任

谷村 忠幸

取締役副社長

- 2007年 旭中央病院入職
- 厚生労働省、世界保健機関(WHO)、
ロシュ・ダイアグノスティック㈱ヘルスケ
アエクセレンス本部 本部長等を歴任
- 2024年4月 当社執行役員就任、同年6
月 当社取締役副社長就任

澤 芳樹

当社創業者／取締役／CTO

- 日本の心臓領域における再生医療の
パイオニア
- 紫綬褒章受章
- 2021年8月 当社取締役CTO就任

新任

平尾 和義

取締役／CBO

- 1984年 富士写真フイルム㈱入社
- Cellular Dynamics International, Inc.
CEO、
Opsis Therapeutics, LLC President
& CEO、
㈱ジャパン・ティッシュエンジニアリング
取締役等を歴任
- 2025年6月 当社取締役CBO(チーフ・
ビジネス・オフィサー)就任

鮫島 正

社外取締役

- 1983年 テルモ㈱入社
- 再生医療分野開発責任者を
経て、2016年に同社執行役
員ハートシート事業室長、
2020年に同社理事等を歴任
- 2022年6月 当社社外取締役
就任

吉田 憲一郎

社外取締役

- 1985年 日興証券㈱入社
- ゴールドマン・サックス証券㈱
投資調査部マネージングディ
レクター、いちごアセットマネ
ジメント㈱副社長等を歴任
- 2024年6月 当社社外取締役
就任

芦田 典裕

常勤監査役

- 1977年 日本興業銀行入行
- 大塚ホールディングス㈱専務
執行役員、ヘカバイオ㈱CFO
等を歴任
- 2024年6月 当社社外監査役
就任

山本 光太郎

社外監査役

- 1985年 弁護士登録(第一東
京弁護士会)
- 1991年 ニューヨーク州弁護士
登録
- 日本弁護士政治連盟常務理
事、最高裁判所司法修習委
員会幹事等を歴任
- 2020年 当社社外監査役就任

阿部 慎史

社外監査役

- 2007年 公認会計士・税理士
登録
- 阿部慎史公認会計士事務所
代表(現任)
- ブレイクスルーパートナー税
理士法人代表(現任)
- 2020年 当社社外監査役就任

事業の内容

iPS心筋シートの研究開発を筆頭に、様々な事業を展開

※ いずれも開発中のものであり、特定の製品が存在するものではありません。

事業名	カテゴリー	事業内容
細胞治療事業	PJ 1 国内iPS心筋シート ※ 	- 心不全治療のためのiPS心筋細胞シート - 対象疾患 ＜ICM＞虚血性心筋症： 広範な心筋梗塞や複数の冠動脈病変により、慢性的に心筋への血流が不足（虚血）することから起こる、左室の拡大と心臓の壁運動の異常を特徴とする重症の虚血性心疾患 ＜DCM＞拡張型心筋症： 心筋収縮不全と左室内腔の拡張を特徴とする疾患群。心臓移植以外に完治しないとされる難病
	PJ 3 海外iPS心筋シート ※	- 心不全治療のためのiPS心筋細胞シート - 対象疾患 ＜ICM＞虚血性心筋症
	PJ 4 カテーテル ※ 	- 心不全患者へのカテーテルによる細胞治療を可能なものとする新しい治療方法の提供 （循環器内科医による治療機会の拡大が見込まれる） - 対象疾患 急性心筋梗塞※1や狭心症、慢性完全閉塞性病変※2
その他事業	PJ 5 体内再生因子誘導剤(YSシリーズ) ※	- 低分子薬剤性による血管新生、抗線維化、抗炎症、及び骨髄幹細胞が分化誘導・組織修復 - 複数の候補臓器（腎臓、肝臓、肺等）への適用
CDMO事業		先進的な技術を有するラボ一体型細胞培養加工施設(CLiC-1)を活用 他社向けの再生医療等製品の研究製造受託、コンサルティング

※1 急性心筋梗塞: 心臓の血管が詰まり血流が止まることで、心筋に酸素と栄養が十分に供給されないことで心筋が壊死した状態となる病気。体内に酸素等が十分に供給されなくなることで、致死的な状態となる可能性がある。

©Cuorips Inc.

※2 慢性完全閉塞性病変: 心臓の冠動脈が3か月以上にわたり完全に閉塞し、血流が止まっている状態。

パイプラインの進捗

2024年6月 (1年前)

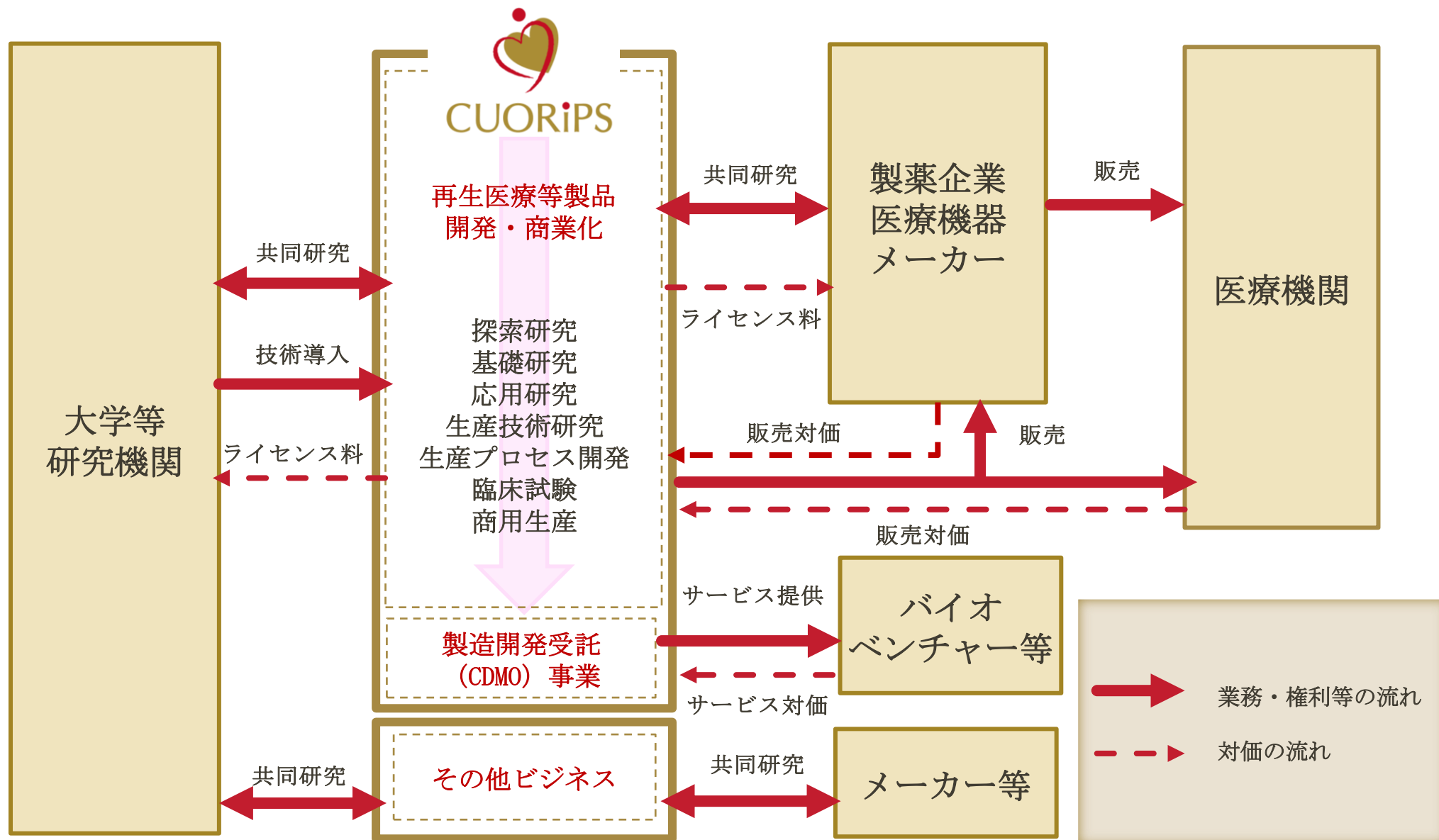
2025年6月 (現時点)

パイプラインの開発進捗は以下のとおり。すべてのパイプラインで順調に進捗。

	パイプライン名	対象疾患	探索	非臨床	臨床試験	承認申請	進捗状況	研究開発 パートナー
細胞治療事業	iPS心筋シート	PJ 1 虚血性心筋症 (ICM)					承認申請済	大阪大学 第一三共
		PJ 2 拡張型心筋症 (DCM)					大阪大学で 医師主導治験を 実施中	大阪大学
		PJ 3 海外 虚血性心筋症 (ICM)					パートナー探索中	スタンフォード 大学
	PJ 4 カテーテル	急性心筋梗塞 (AMI) 慢性完全閉塞 (CTO)					朝日インテックと 共同研究開発	朝日 インテック
その他事業	PJ 5 体内再生因子 誘導剤	肝硬変 非アルコール性脂肪肝炎 閉塞性動脈硬化症 炎症性腸疾患 ほか					探索研究中	大阪大学 新潟大学

■ 当社グループのビジネスモデル

当社グループは、大学等研究機関や製薬企業などとパートナー関係を構築



PJ 1

PJ 2

PJ 3

細胞治療事業 (iPS心筋シート)

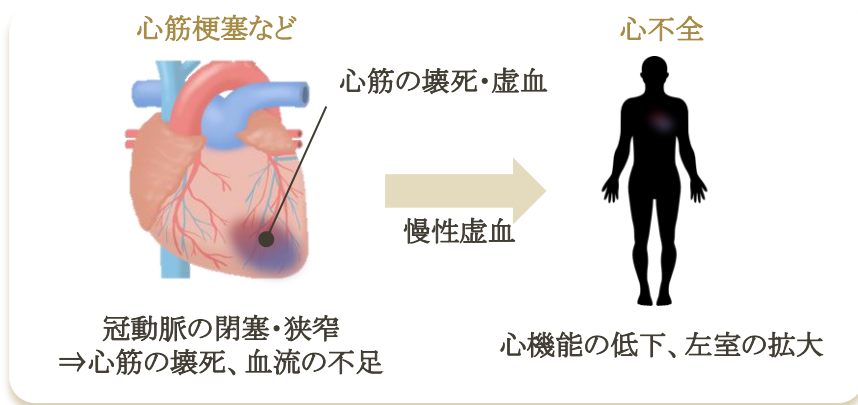
心筋症について

PJ 1

PJ 3

虚血性心筋症 (ICM)

虚血性心筋症とは、広範な心筋梗塞や複数の冠動脈病変により、慢性的に心筋への血流が不足（虚血）することから起こる、左室の拡大と心臓の壁運動の異常を特徴とする重症の虚血性心疾患です

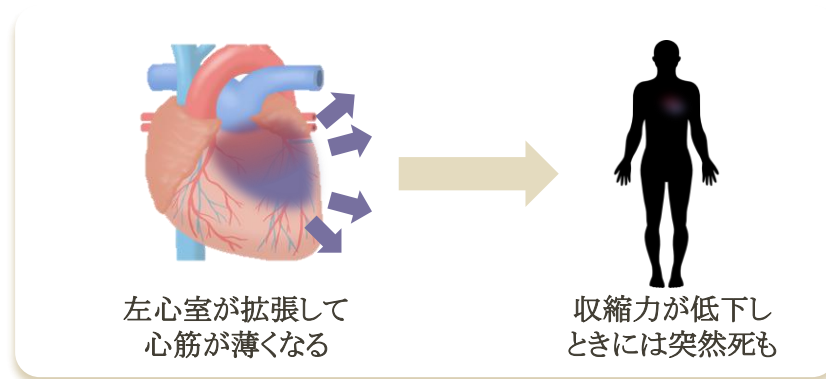


PJ1 製造販売承認申請済み
PJ3 スタンフォード大学と共同研究

PJ 2

拡張型心筋症(DCM)

拡張型心筋症とは、左心室あるいは両心室のびまん性の収縮機能低下、心室の拡大を呈する疾患です

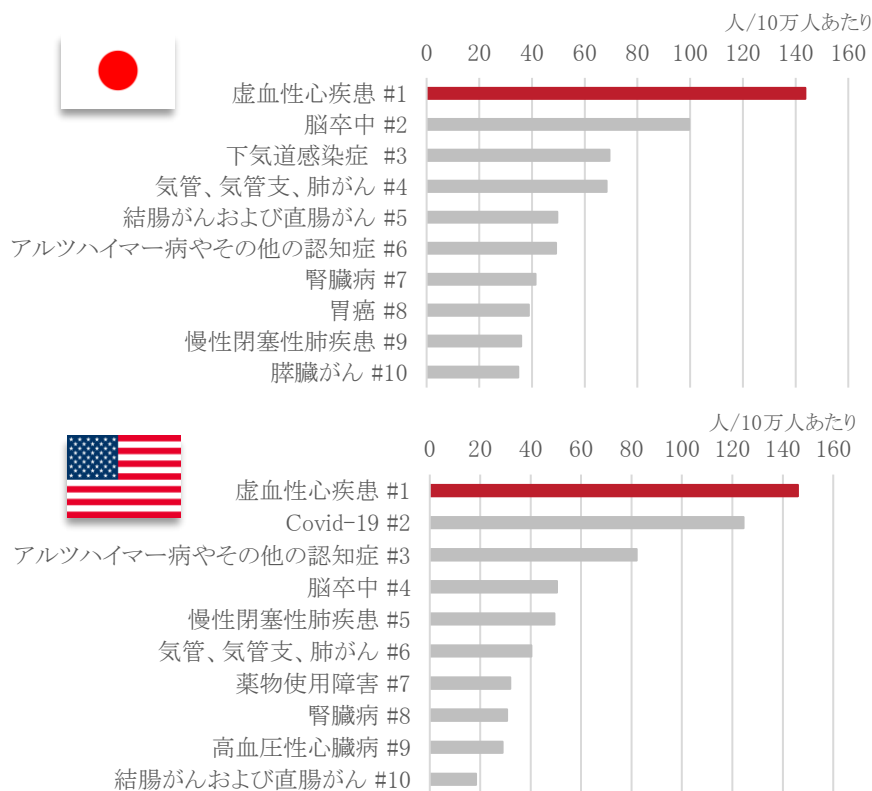


大阪大学で
医師主導治験実施中

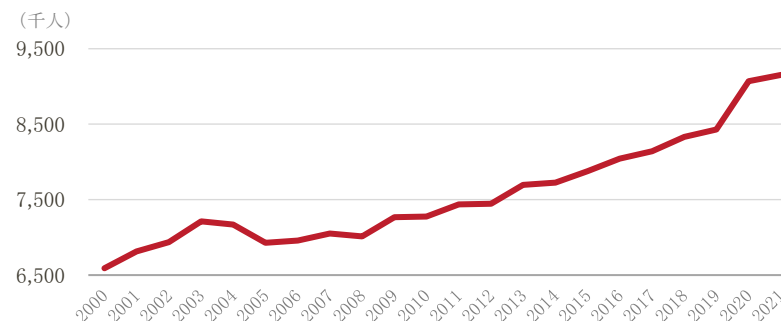
心疾患の現状や患者数の規模

- 日本・米国共に虚血性心疾患は死因第1位
- グローバルでも虚血性心疾患による死亡者数は増加傾向

日・米の死因ランキング(2021年)※1



世界の虚血性心疾患による死亡者推移※2



心不全患者数と市場規模の概算※3-5

地域	心不全患者数	NYHA class III (25%)	NYHA class IV (5%)
日本	1,300,000	325,000	65,000
米国	6,000,000	1,500,000	300,000
全世界	26,000,000	6,500,000	1,300,000

- ※1 WHO算出
- ※2 Euromonitorが公表する10万人あたりの人数にUnited Nationsが公表する各国の人口を掛け合わせて算出
- ※3 【日本の市場規模】 当社のIPS心筋シートのターゲットは、虚血性心筋症で内科的な治療では心臓の悪化を防ぐことができず、心臓移植又は補助人工心臓の装着まで悪化していない患者です。
 ⇒すなわち、NYHA(※)心機能分類でⅢ度及びⅣ度の初期の患者です。
 ⇒NYHA心機能分類でⅠ度の患者の割合は35%、Ⅱ度は35%、Ⅲ度は25%(Ⅲ度Aは15%、Ⅲ度Bは10%)、Ⅳ度は5%存在すると推定されています(Miller L.W. (2011). Left Ventricular Assist Devices Are Underutilized. Circulation, 123, 1552-1558.)。
- ⇒日本国内で心不全患者は130万人いるため、Ⅲ度及びⅣ度の患者数は、NYHA心機能分類Ⅲ度の患者数が32.5万人(=130万人×25%)、Ⅳ度が6.5万人(=130万人×5%)と推定されます。
- ※4 【米国の市場規模】 米国での心不全患者数は600万人であるため(Savarese G, Lund L.H. (2017). Global Public Health Burden of Heart Failure. Card Fail Rev., 3(1), 7-11.)
 ⇒Ⅲ度及びⅣ度の患者数は、NYHA心機能分類Ⅲ度の患者数が150万人(=600万人×25%)、Ⅳ度が30万人(=600万人×5%)と推定されます。
- ※5 NYHA:ニューヨーク心臓協会(New York Heart Association)の略称。NYHA心機能分類は、NYHAが心機能を重症度に応じて、以下の四つに分類したもの。
 Ⅰ度:心疾患を有するが、そのために身体活動が制限されることのない患者。Ⅱ度:心疾患を有し、安静時には無症状であるが、通常の活動で疲労、動悸、呼吸困難、狭心症になる患者。
 Ⅲ度:心疾患を有し、身体活動が高度に制限される患者、即ち、通常以下の活動で疲労、動悸、呼吸困難、狭心症になる患者。Ⅳ度:非常に軽度な活動乃至安静時でも心不全ないしは狭心症を起こす患者

iPS心筋シート(再生医療)の期待される効果

iPS心筋シートは患者、医療コスト抑制に対してメリットを提供

①ドナー不足の解消

当社の治療方法により、人工心臓装着や心臓移植まで悪化する患者を減らし、心臓移植待機者問題等の解消につなげる。

- ・2025年5月末現在の心臓移植希望登録者数:800人
- ・2024年1月～12月の心臓移植件数:111件

(出所:公益社団法人 日本臓器移植ネットワーク)

②医療コストの削減

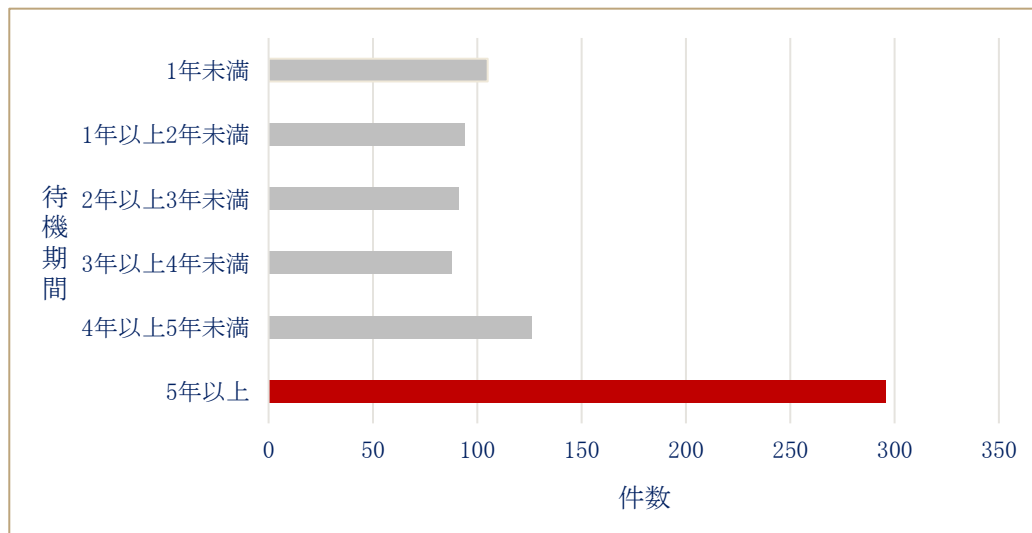
当社製品により、悪化を防ぐことにより、医療コストの削減可能。

(人工心臓の場合) ※
薬価1,900万円、在宅管理料(540万円/年)
装着期間を5年と仮定した場合は、計4,600万円。
(当社推定)

心臓移植までの待機期間

待機期間	件数
1年未満	105
1年以上2年未満	94
2年以上3年未満	91
3年以上4年未満	88
4年以上5年未満	126
5年以上	296
合計	800

(出所:公益社団法人 日本臓器移植ネットワーク)



※ 厚生労働省「医療機器の保険適用について(平成23年4月)」(<https://www.mhlw.go.jp/stf/shingi/2r985200000127vk-att/2r985200000127zm.pdf>)

当社が開発を目指す製品の優位性

- ・ iPS心筋シートは心臓移植に至る前の患者への治療を想定

New York Heart Association の心臓悪化分類		I	II	III	IV
		疾患はあるが、 普通の身体活動では 症状がない (35%)	普通の身体活動 (坂道や階段を のぼるなど) で症状がある (35%)	普通以下の身体活動 (平地を歩くなど) でも症状がある (Ⅲ度A:15%, Ⅲ度B:10%)	安静にしても 心不全の症状や 狭心痛がある (5%)
患者数 推計	世界 : 2,600万人	650万人 (Ⅲ度B:260万人)			130万人
	米国 : 600万人	150万人 (Ⅲ度B:60万人)			30万人
	日本 : 130万人	32.5万人 (Ⅲ度B:13万人)			6.5万人

従来治療法	特徴	適用領域
薬物療法	○ 侵襲性※1が低い × 根治が期待できない	iPS心筋シート の適用領域 ※2
手術療法 (CRT-D等)	× 侵襲性が高い × 根治が期待できない (パチスタ手術=姑息術)	
人工心臓	○ 侵襲性が低い × 根治が期待できない × 抗血栓薬の服用が必要	
心臓移植	○ 根治が期待できる × 侵襲性が高い × 待期期間が長い × 免疫抑制剤の服用が必要	

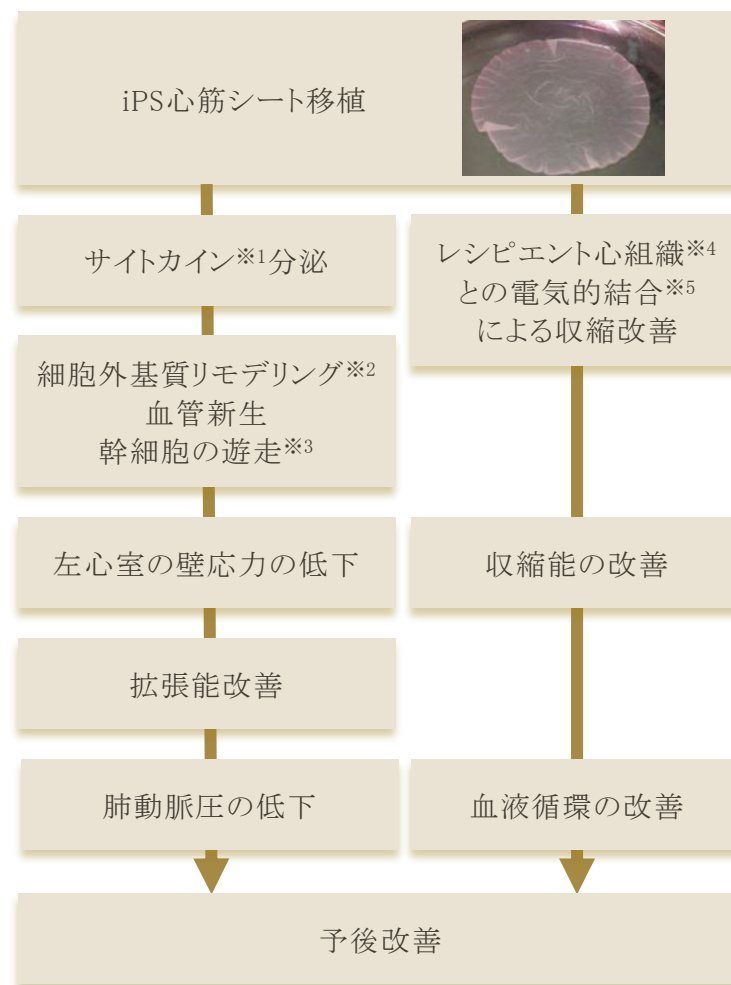
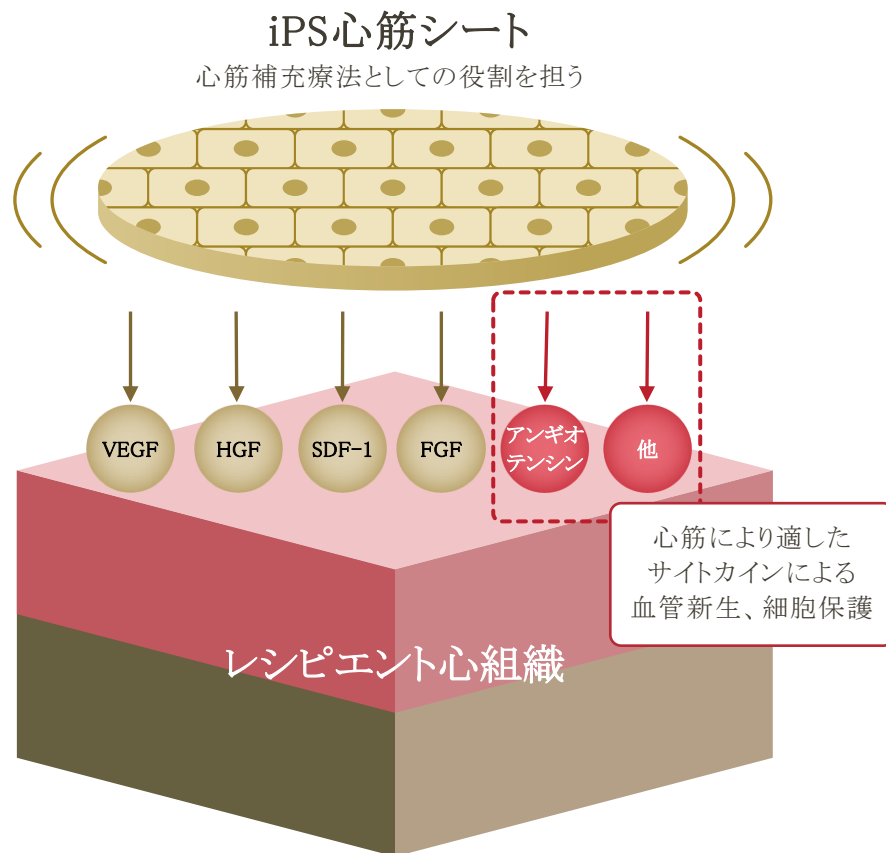
※1 侵襲性:外科的手術などにより、生体に刺激や変化を与えることで、生体の内部環境を乱す可能性があること

※2 適用領域は現時点におけるイメージであり、上市後の適用領域は様々な要因で異なる可能性があります。

iPS心筋シートの治療メカニズム

推定される効果:iPS心筋シートは、心筋により適したサイトカインを分泌することにより、心機能の回復に繋がっているのではないかと推定

※6



※1 サイトカイン:細胞から分泌され、特定の細胞の働きに作用するタンパク質

※2 細胞外基質リモデリング:梗塞部位において組織の柔軟性がなくなり、組織の再生や修復が難しくなる線維化現象について、線維化を改善又は抑制するために、繊維となる細胞外気質を変革すること

※3 幹細胞の遊走:梗塞部位における組織の修復を担う幹細胞を遊走させ集積させること

※4 レシピエント心組織:レシピエントとは臓器移植等における臓器の受容側を指し、ここでは動物実験におけるヒトiPS細胞由来心筋細胞を受け入れた動物の心筋を指す

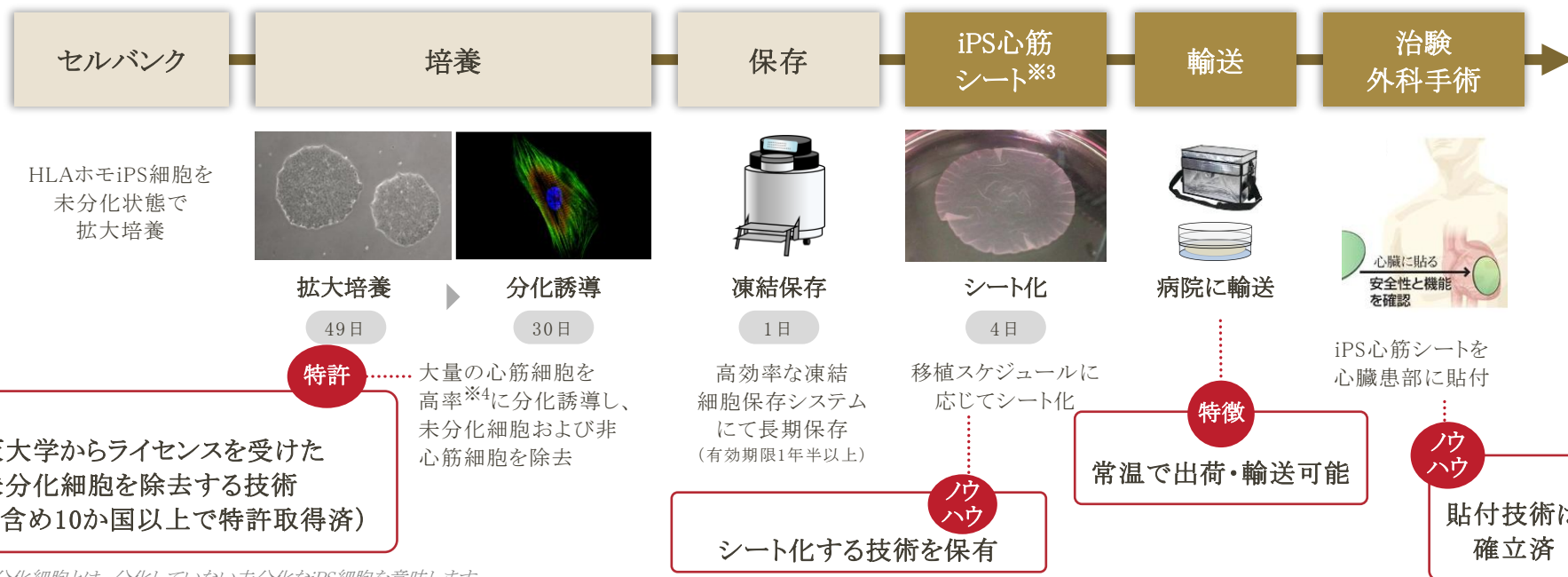
※5 電氣的融合:梗塞部位における心機能を回復させるために、ペースメーカー細胞から拍動の電気信号を伝えるように断絶した心筋細胞を結合させること

※6 Transplantation of iPSC-Derived Cardiomyocyte Patches for Ischemic Cardiomyopathy (doi: <https://doi.org/10.1101/2021.12.27.21268295>)

iPS心筋シートの製造プロセス

- 再生医療において、安定的な供給体制の整備は生命線
- 未分化細胞※¹、非心筋細胞※²の除去を含めた、商用化を見据えた製造体制を構築済み

iPS心筋シートの製造プロセス



※¹ 未分化細胞とは、分化していない未分化iPS細胞を意味します

※² 非心筋細胞は、iPS細胞由来の心筋以外の細胞を意味します。心筋細胞分化過程での非心筋細胞は心臓の線維芽細胞と血管内皮細胞です。未分化iPS細胞は造腫瘍性を有するため、iPS細胞由来の心筋シートには、未分化iPS細胞の混入による癌化のリスクがあります。これを回避するため、未分化細胞を含む非心筋細胞と心筋細胞の代謝の違いを利用して非心筋細胞が生存できない培地で培養することで非心筋細胞を排除します。さらに、未分化細胞の表面に特異的な抗原に対する抗体に毒素を架橋した薬剤で、未分化細胞を選択的に死滅させることで癌化リスクを無くしています

※³ iPS心筋シートは、他家細胞であるため、移植後に移植した細胞を生存させるためには患者への免疫抑制剤の投与が必要となります。免疫抑制剤には、腎機能への副作用や、感染のリスクがあるため、当社では移植した細胞による心組織・機能が回復する期間のみを免疫抑制剤投与期間とし、その間も免疫抑制剤の種類と投与量を漸減させることでこのリスクを回避しております

※⁴ 当社の培養技術では、心筋のマーカーとして使用されている心筋収縮に必要な心トロポニン分子陽性細胞の比率が平均で95%です。

公表されている以下の論文(総説)に記載されている様々な手法における効率が8%から98%であることから、当社の効率は相対的に高く、高率であると記載しております(当社調べ)。

A review of protocols for human iPSC culture, cardiac differentiation, subtype-specification, maturation, and direct reprogramming

Davi M Lyra-Leite, Óscar Gutiérrez-Gutiérrez, Meimei Wang, Yang Zhou, Lukas Cyganek, Paul W Burrridge

STAR Protoc. 2022 Aug 18;3(3):101560. doi: 10.1016/j.xpro.2022.101560.

Differentiating Human Pluripotent Stem Cells to Cardiomyocytes Using Purified Extracellular Matrix Proteins

Ashlynn M Barnes, Tessa B Holmstoen, Andrew J Bonham, Teisha J Rowland

Bioengineering (Basel). 2022 Nov 22;9(12):720. doi: 10.3390/bioengineering9120720

CLiC-1(Cuorips Labo-integrated Cell Processing Facility for Advanced Therapy-1st)

- ・ 独自コンセプトに基づくユニークな設計による、ラボ一体型の製造施設
- ・ 自前の製造拠点を整備しており、差別化の要

自社パイプライン

CLiC-1において、自社パイプラインの製造を行うことが可能



CLiC-1



CDMO事業

CLiC-1において、他社の委託に基づきCDMO事業を行うことも可能

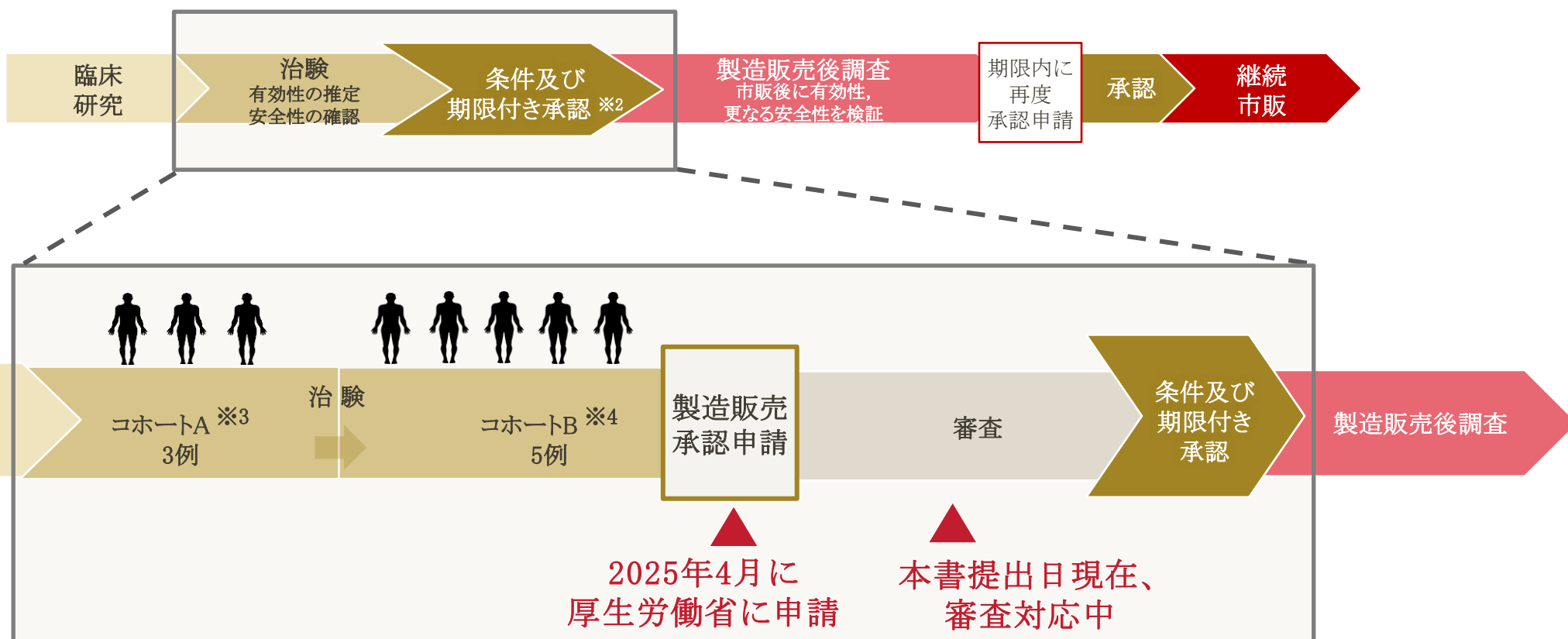


生産プロセス開発から再生医療等製品や特定細胞加工物の製造・品質管理まで一貫して行えるワンストップサービスが提供可能。

ICM向けiPS心筋シートの治験の状況

- PMDA ※¹との協議・相談の結果、医師主導治験により進めている
- 2025年4月に製造販売承認申請を行い、現在審査中。

再生医療等製品の承認制度概要と本品の治験の状況



※¹ PMDA (独立行政法人 医薬品医療機器総合機構): 医薬品や医療機器などの品質、有効性及び安全性について、治験前から承認までを一貫した体制で指導・審査し(承認審査)、市販後における安全性に関する情報の収集、分析、提供を行う(安全対策)ことを通じて、国民保険の向上に貢献することを目的に日々業務を行っている独立行政法人(出所: <https://www.pmda.go.jp/safety/reports/patients/0021.html>)

※² 条件及び期限付き承認制度: 治験の対象患者の集積が難しいことや、対象製品の品質の不安定性などの理由で、臨床第Ⅲ相(PⅢ)試験などの検証的臨床試験の実施に長期間を要するような医薬品・医療機器・再生医療等製品について、少数例の治験データに基づき、安全性が確認され、一定の有効性が見込まれる製品を一定条件と期限を付したうえで早期に承認し、販売後有効性を評価することとする制度。申請内容を踏まえてPMDAが適用を判断。

※³ コホートA: 本製品が初めてヒトに移植されることから慎重に治験を進めるためのフェーズとして設定。用量の適切性を確認するためのフェーズ。大阪大学医学部附属病院の細胞製造施設で製造。

※⁴ コホートB: コホートAの結果を踏まえて用量の増加を可能とするフェーズを設定。当社の細胞培養加工施設(CLiC-1)で製造。コホートAでの移植を受けて、効果安全性評価委員会で効果の安全性・有効性を評価した上でコホートBに進んでいる。

■ iPS心筋シート移植(コホートA)の論文化 ※1

- 大阪大学の研究チームがコホートAの3症例を対象に解析結果をまとめた論文を公表
- 副作用、病状の悪化等について観察されず、治験製品に関連する重篤な有害事象は識別されず

解析結果の概要

- 副作用、病状の悪化等については観察されず、心機能の改善が観察された。
- 特に3症例中2症例は、左心室の伸縮性の改善及び心筋への血流改善が観察された。
- 免疫反応については、免疫抑制剤投与終了後は、3症例全てで移植細胞に対する抗体値が上昇しており、さらに、心機能の改善が弱かった1症例については、移植前からHLA-DQ(※2)に対する抗体値が上昇していた。
- 今回の研究の結論は、安全性に関しては、問題がなかった。一方、治療効果及び免疫反応との関連性に関しては、引き続き症例数を増やすことが必要である。

NYHA※3

自覚症状による重症度分類に関しても、移植1年後に改善が見られた

良好 ↑ ↓ 不良	NYHA分類	自覚症状	Case 1		Case 2		Case 3	
	I 度	疾患はあるが、普通の身体活動では症状がない	改善 →	Pre	1year	改善 →	Pre	1year
	II 度	普通の身体活動(坂道や階段をのぼるなど)で症状がある						
	III 度	普通以下の身体活動(平地を歩くなど)でも症状がある						
	IV 度	安静にしている時、心不全の症状や狭心痛がある		Pre	1year		Pre	1year

※1 <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fcvm.2023.1182209/full>
※2 非自己細胞を認識し、免疫を活性化する抗体の一種
※3 NYHA: New York Heart Association (ニューヨーク心臓協会)が定める心機能分類。心不全の重症度判定に用いられます

競合比較

他家移植、心筋細胞シートの研究開発では他社より先行しており、最も事業化に近いフェーズ

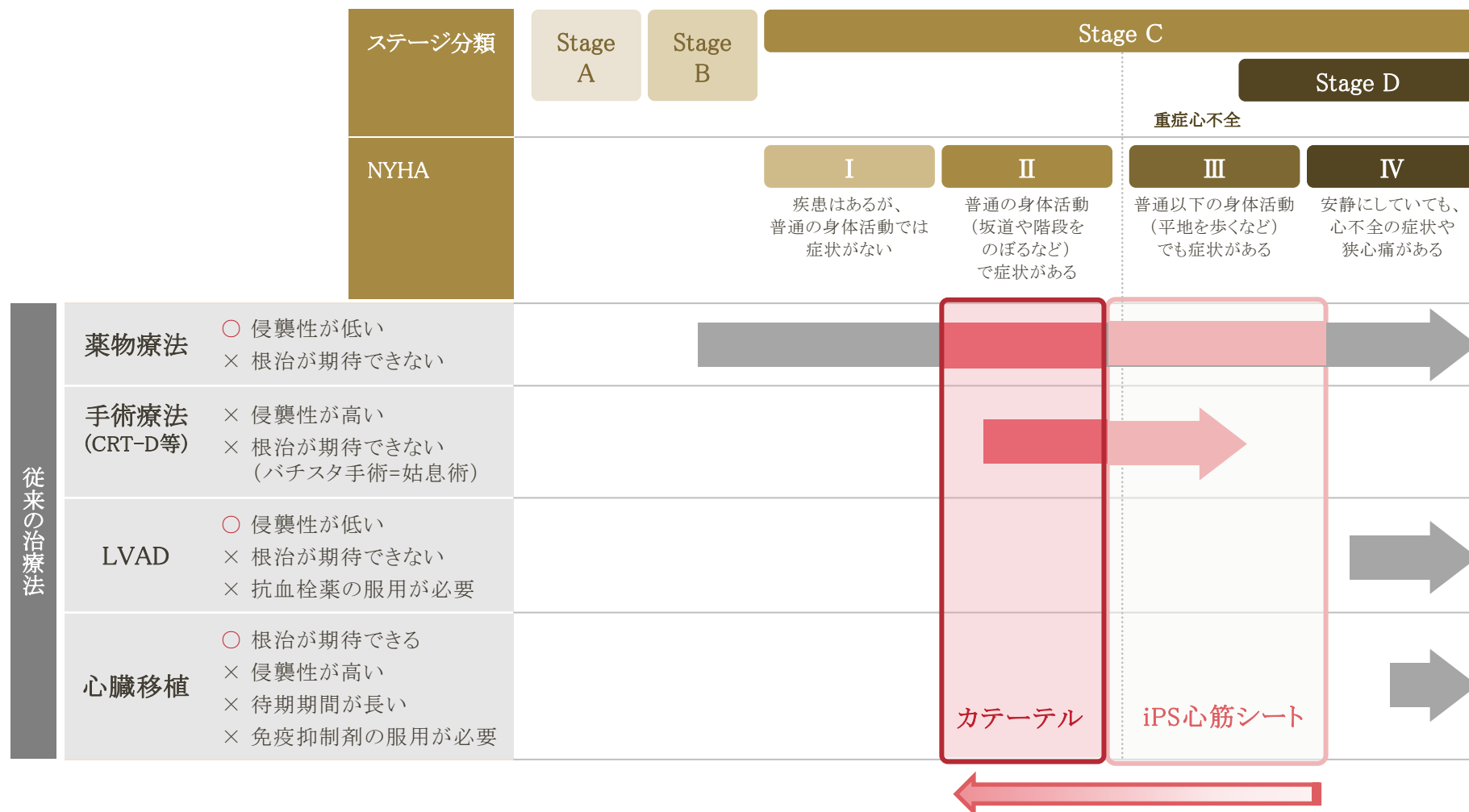
		細胞種	デリバリー	対象疾患	安全性・ 造腫瘍性試験	臨床試験
国内	クオリプス	iPS由来 心筋細胞	パッチ方式	虚血性心筋症	○	医師主導治験 全8例 実施済み
	A社	iPS由来 心筋細胞	心筋内直接投与	虚血性重症心不全	不明	全10例目実施済み
	B社	iPS由来 心筋細胞	パッチ方式 (生体吸収パッチ)	慢性心不全	不明	臨床前試験 Pre-IND
	C社	自家骨格 心筋細胞	パッチ方式	虚血性心不全	○	条件期限付き承認後、 販売終了
海外	D社	iPS由来 心筋細胞	パッチ方式	虚血性心不全	不明	非臨床試験段階
	E社	iPS由来	パッチ方式 (生体吸収パッチ)	慢性心不全	不明	非臨床試験段階
	F社	iPS由来 心筋細胞	パッチ方式	虚血性慢性心不全	不明	臨床前試験準備中 IND approved
	G社	iPS由来 心筋細胞	パッチ方式	虚血性慢性心不全	○	第Ⅰ/Ⅱ相試験 9例 実施

PJ 4

細胞治療事業 (カテーテル治療法)

カテーテル治療法により、心筋シートより前の症状をカバー(イメージ)

- ・ iPS心筋シートは心臓移植に至る前の治療を想定
- ・ 開胸手術を要しないカテーテルの治療は更に広いカバー領域を想定



カテーテル：朝日インテックとの共同研究開発契約

PCI(経皮冠動脈インターベンション)治療において、重症な心不全患者だけではなく、軽度な心不全患者への新たな細胞治療の提供を目指す※1



iPS細胞の培養・分化・
大量培養技術とノウハウ

新たな治療法に適した
iPS細胞由来細胞の開発

共同研究
契約締結

高い素材加工技術による
カテーテル製品開発力

広く普及する新たな
細胞移植方法の確立

心不全を含む循環器疾患に苦しむ患者に適応する
新たな再生医療の事業化を通じ、
今後の医療革新に貢献することを目指す

新規カテーテル治療

iPS由来心筋細胞等を
カテーテルで注入



- AMI※2、CTO※3心不全患者への
新しい治療方法の提供
(PCI患者全体約20から30万件の
10%~20%が該当、日本循環器学会
資料参照)
- 循環器内科による治療機会の拡大

患者数(推定)
20,000人※4

※1 カテーテル治療では、AMIに関しては、梗塞による酸素・栄養欠乏により急速に死にゆく部位へ移植することで梗塞部位組織を回復させ、CTOに関しては、閉塞によって心筋が失われた部位へ移植し修復させることにより心機能の回復を目指します。

※2 AMI (Acute Myocardial Infraction) : 急性心筋梗塞

※3 CTO (Chronic Total Occlusion) : 慢性完全閉塞

※4 日本循環器学会「循環器疾患診療実態調査 報告書」

PJ 5

その他事業 (体内再生因子誘導剤)

体内再生因子誘導剤(YS)の特徴-2つの作用-

体内再生因子誘導剤は、生物が本来有する自然治癒力を増強することにより、組織・臓器の再生を誘導することを期待

【作用①】

**組織傷害
線維化**
(広範囲損傷)

骨髓から幹細胞血中に
動員・集積

- ・骨髓幹細胞動員因子 HMGB1
- ・骨髓幹細胞集積因子 SDF-1

- ・骨髓幹細胞が損傷組織に
動員・集積
- ・幹細胞分化による**組織修復**

【作用②】

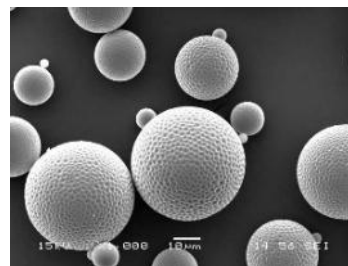
虚血・炎症
(局所損傷)

疾患局所近傍にて
各種再生因子を誘導

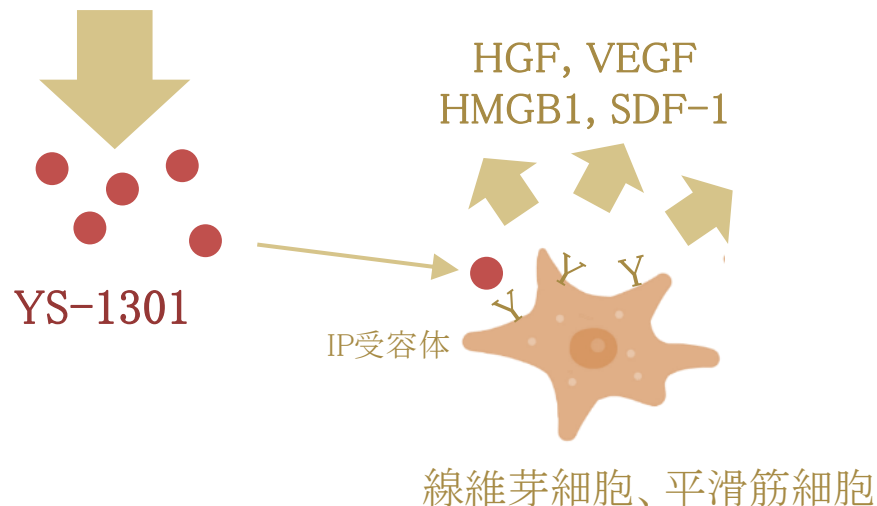
- ・肝細胞増殖因子 HGF
- ・血管内皮細胞増殖因子 VEGF等

- ・損傷組織近傍にて**再生修復**
- ・血管新生、抗線維化、
抗アポトーシス、抗炎症等

障害臓器・組織の修復を誘導



YS-1402
(YS-1301の4週間徐放性製剤)



YS-1301は選択的IP受容体作動薬として
線維芽細胞や平滑筋細胞に作用し、
多種の体内再生因子の産生を誘導する

体内再生因子誘導剤(YS)の特徴

多数の疾患モデルにおいて検証結果を示す論文が公表

肺高血圧症



Circulation Journal
Official Journal of the Japanese Circulation Society
<http://www.j-circ.or.jp>

ORIGINAL ARTICLE
Pulmonary Circulation

Oral Administration of a Novel Long-Acting Prostacyclin Agonist With Thromboxane Synthase Inhibitory Activity for Pulmonary Arterial Hypertension

Atsuhiro Nakamura, MD; Noritoshi Nagaya, MD, PhD; Hiroaki Obata, MD, PhD;
Katsuya Sakai, MD, PhD; Yoshiaki Sakai, PhD; Masanori Yoshikawa, MD, PhD;
Kaoru Hamada, MD, PhD; Kunio Matsumoto, MD, PhD; Hiroshi Kimura, MD, PhD

心筋梗塞

OPEN ACCESS Freely available online



Sustained-Release Delivery of Prostacyclin Analogue Enhances Bone Marrow-Cell Recruitment and Yields Functional Benefits for Acute Myocardial Infarction in Mice

Yukiko Imanishi¹, Shigeru Miyagawa¹, Satsuki Fukushima¹, Kazuhiko Ishimaru¹, Nagako Sougawa¹,
Atsuhiro Saito², Yoshiaki Sakai³, Yoshiaki Sawa^{1*}

慢性腎臓病

Am J Physiol Renal Physiol 302: F1616–F1629, 2012.
First published March 12, 2012; doi:10.1152/ajprenal.00538.2011.

Sustained-release prostacyclin analog ONO-1301 ameliorates tubulointerstitial alterations in a mouse obstructive nephropathy model

Tatsuyo Nasu,¹ Masaru Kinomura,¹ Katsuyuki Tanabe,¹ Hiroko Yamasaki,¹ Su Le Htay,¹ Daisuke Saito,¹
Norikazu Hinamoto,¹ Hiroyuki Watatani,¹ Haruyo Ujike,¹ Yoshinori Suzuki,² Takeshi Sugaya,³
Hitoshi Sugiyama,⁴ Yoshiaki Sakai,⁵ Kunio Matsumoto,² Yohei Maeshima,¹ and Hirofumi Makino¹

非アルコール性脂肪性肝炎

Motegi et al. *Inflammation and Regeneration*
<https://doi.org/10.1186/s41232-021-00191-6>

(2022) 42:3

Inflammation and Regeneration

RESEARCH ARTICLE

Open Access

A novel prostaglandin I₂ agonist, ONO-1301, attenuates liver inflammation and suppresses fibrosis in non-alcoholic steatohepatitis model mice

Satoko Motegi¹, Atsunori Tsuchiya^{1*}, Takahiro Iwasawa¹, Takeki Sato¹, Masaru Kumagai¹, Kazuki Natsui¹,
Shunsuke Nojiri¹, Masahiro Ogawa¹, Suguru Takeuchi¹, Yosiki Sakai², Shigeru Miyagawa², Yoshiaki Sawa² and
Shuji Terai^{1*}



ALS

SCIENTIFIC REPORTS

Single injection of sustained-release prostacyclin analog ONO-1301-MS ameliorates hypoxic toxicity in the murine model of amyotrophic lateral sclerosis

Satoru Tada^{1,2}, Tatsusada Okuno¹, Mikito Shimizu¹, Yoshiaki Sakai³, Hisae Sumi-Akamaru¹,
Makoto Kinoshita¹, Kazuya Yamashita¹, Eri Sanda¹, Chi-Jing Choong¹, Akiko Namba¹,
Tsutomu Sasaki¹, Toru Koda¹, Kazushiro Takata¹, Shigeru Miyagawa², Yoshiaki Sawa²,
Yuji Nakatsuji¹ & Hideki Mochizuki¹

体内再生因子誘導剤(YS)の共同研究

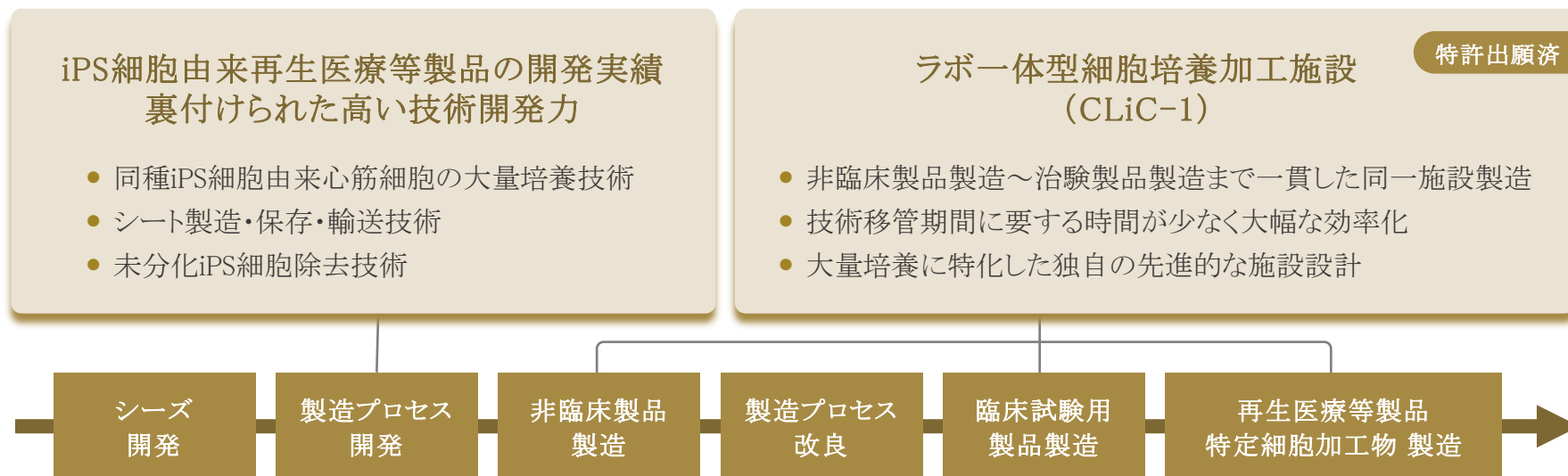
多数の疾患モデルにおいて検証結果を示す論文が公表

共同研究先	対象疾患	進捗状況
大阪大学 消化器外科	肝硬変 肝切除	- 肝硬変に関する研究成果がHepatology Research誌に報告 https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/hepr.14228 ※ NASH/肝硬変に対するYSの薬効は、新潟大が発表済み 新潟大：YS-1301 (原薬)を摂餌投与 (Motegi et al., Inflamm Regen. 2022) 阪大：YS-1402 (徐放性製剤) を貼付投与
新潟大学 消化器内科	NASH 肝硬変 胆管障害	- 徐放性製剤を皮下投与後、血中/組織中濃度測定を実施 - 疾患モデルマウスでの薬効試験
大阪大学 消化器内科	炎症性腸疾患	- 徐放性製剤を腹腔内投与後、血中/組織中濃度測定を実施 - 疾患モデルマウスでの予備検討試験

CDMO事業

当社の再生医療CDMO ※1 事業

- ・アカデミアシーズの実用化に繋げる先進的施設による再生医療等製品のワンストップな開発・製造支援事業
- ・一般的な方式と比較して約3倍(社内比較)の生産能力を実現しています



CDMO事業 売上高推移

- ・2025/3期は万博関連を含む新規案件の受託により売上高が増加
- ・今後も受注獲得に向け注力

2022/3期
13,913千円

2023/3期
38,278千円

2024/3期
23,102千円
※2

2025/3期
167,605千円

※1 CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization): 開発製造受託機関のことで、商用製造に加え、治験製品の製造や製法の開発を事業範囲とするもの。クオリップスのCDMO事業は、ラボ一体型の細胞培養加工施設 (CLiC-1) の特長を生かして、非臨床試験向け製品の開発製造から治験製品、商用製造まで一貫して同じ施設で実施可能としており、効率的な製法開発を進めることを可能としています

※2 2024/3期は、iPS細胞シート(ICM)の承認申請業務に注力しており、新規受注獲得のための活動を一時的に中断したため売上高が減少

大阪・関西万博

- 2025年日本国際博覧会(大阪・関西万博)にて当社の技術力を活かし、展示物を開発・提供



- 再生医療の可能性を世界中の人々に届けるために、「ミニ心臓」を開発
- この取り組みは、「未来は変えられる」というメッセージを子どもたちをはじめとした次世代に伝え、医療の未来を担う希望を育てたいというCTO澤の思いが込められている。

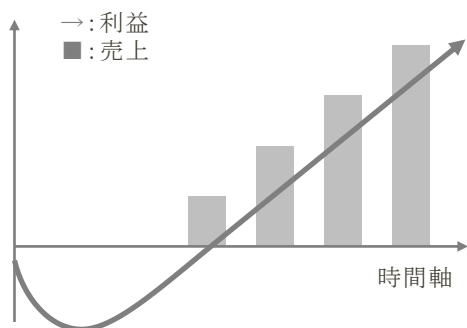
iPS細胞から作製した「ミニ心臓」
大阪・関西万博「PASONA NATUREVERSE館」にて公開

收益構造

当社グループの収益構造

共同研究開発型モデル、CDMO等の事業によるダウンサイドリスクの軽減化を図りつつ、画期的な新製品の上市に伴い、高い成長を目指す

自社研究開発型モデル



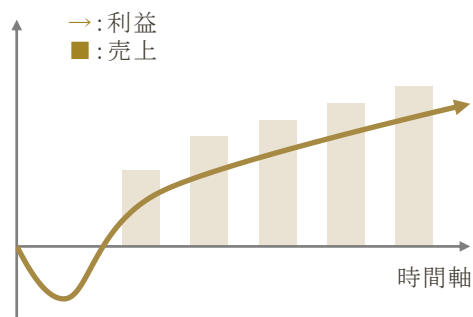
収益化後は大きな飛躍が見込める



早期のブレイクイーブンを見込むのが困難

ビジネスリスクが高い

共同研究開発型モデル

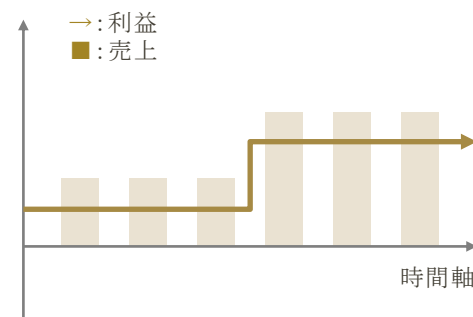


ブレイクイーブンが早期に見込める



収益が限定化されやすい

CDMO事業



安定的な事業収入



収益,利益規模は限定的

両者が組み合わさることによって
ローンチ直後から経営の安定化を実現

経営成績

- 一般的なバイオベンチャー同様、研究開発費が先行する
- CDMO事業、共同研究開発型モデルにより研究開発フェーズでの赤字幅を縮小させる
ビジネスモデル

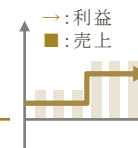
(連結)損益計算書

(単位:千円)

	2022/3期	2023/3期	2024/3期	2025/3期	2026/3期
	個別	個別	連結	連結	連結 (予想)※
売上高	13,913	38,278	23,102	175,205	590,000
売上原価	3,260	17,266	13,471	6,954	
販売費及び一般管理費 ③+④	383,917	471,447	598,118	758,512	
(うち、研究開発費の総額) ①	655,546	648,463	788,853	1,029,399	
(うち、共同研究開発費受入額) ②	△542,740	△480,310	△579,079	△695,265	
研究開発費 ③(=①-②)	112,805	168,152	209,773	334,133	
その他販管費 ④	271,112	303,295	388,345	424,378	
営業損失(△)	△373,264	△450,435	△588,487	△590,262	△895,000
経常損失(△)	△373,140	△450,418	△627,930	△642,014	△883,000
(親会社株主に帰属する) 当期純損失(△)	△375,337	△452,077	△632,183	△644,342	△889,000

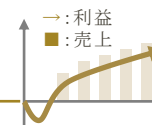
CDMO事業

CLiC-1を利用したCDMO事業を中心に売上を計上。



共同研究開発型モデル

研究開発費(③)は、当社グループで発生した研究開発費の総額(①)から、共同研究開発パートナーより受領した共同研究開発費受入額(②)を控除して販管費を計上。



→共同研究開発費受入額(②)により、上市前の赤字幅を縮小

※ 2025年5月14日に公表した2025年3月期決算短信における連結業績予想数値。

財政状態

- 2023年6月のIPOにより現金預金等、純資産が増加
- 2025/3期の現預金比率は83.5%、純資産比率は96.3%

(連結)貸借対照表

(単位:千円)

	2023/3期		2024/3期		2025/3期	
	個別	割合 ※2	連結	割合 ※2	連結	割合 ※2
資産						
流動資産	2,977,402	83.0%	5,612,137	90.7%	5,125,116	89.3%
(うち、現金預金等) ※1	2,941,896	82.0%	5,582,270	90.3%	4,793,824	83.5%
固定資産	610,015	17.0%	572,600	9.3%	616,493	10.7%
資産合計	3,587,417	100.0%	6,184,738	100.0%	5,741,609	100.0%
負債/純資産						
流動負債	97,425	2.7%	166,015	2.7%	177,315	3.1%
固定負債	36,369	1.0%	34,945	0.6%	34,595	0.6%
純資産	3,453,623	96.3%	5,983,777	96.8%	5,529,698	96.3%
負債純資産合計	3,587,417	100.0%	6,184,738	100.0%	5,741,609	100.0%

※1 現金預金等は、(連結)貸借対照表の「現金及び預金」と「有価証券」の合計額

※2 総資産に占める割合。小数点以下第二位を四捨五入にて算出

キャッシュ・フロー

- 2023年6月のIPOにより現金及び現金同等物が増加
- 研究開発費が先行するため営業キャッシュ・フローはマイナスとなるが、Cash burn rateを抑える

(連結)キャッシュ・フロー計算書

(単位:千円)

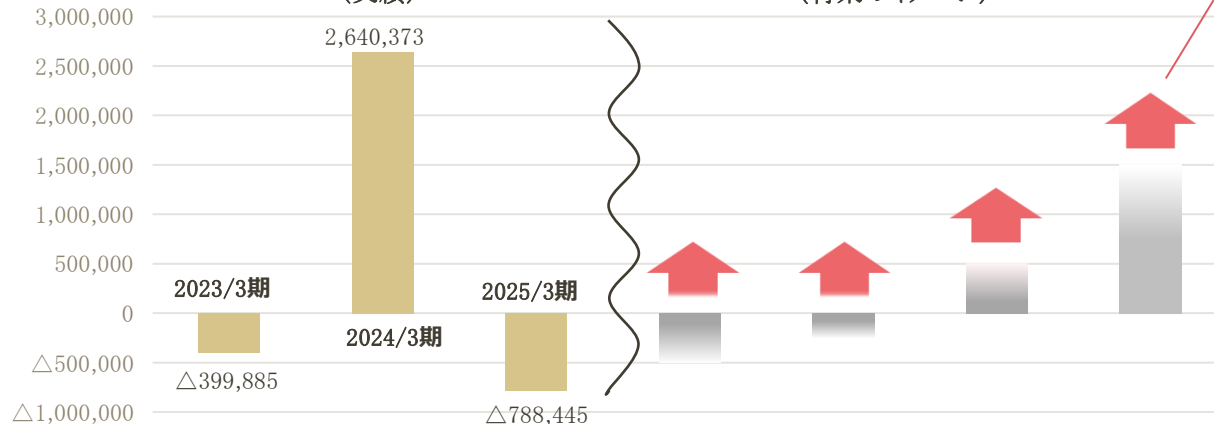
	2023/3期	2024/3期	2025/3期
	個別	連結	連結
営業活動によるキャッシュ・フロー	△401,612	△451,060	△812,616
投資活動によるキャッシュ・フロー	△8,968	△34,998	△119,992
財務活動によるキャッシュ・フロー	10,694	3,125,418	145,113
現金及び現金同等物に係る換算差額	—	1,014	△949
現金及び現金同等物の増減額	△399,885	2,640,373	△788,445
現金及び現金同等物の期末残高	2,941,896	5,582,270	4,793,824

現金及び現金同等物の増減額

(単位:千円)

(実績)

(将来のイメージ)



上市前のCash burn rateを抑える取り組み

CDMO事業

共同研究開発

経費コントロール

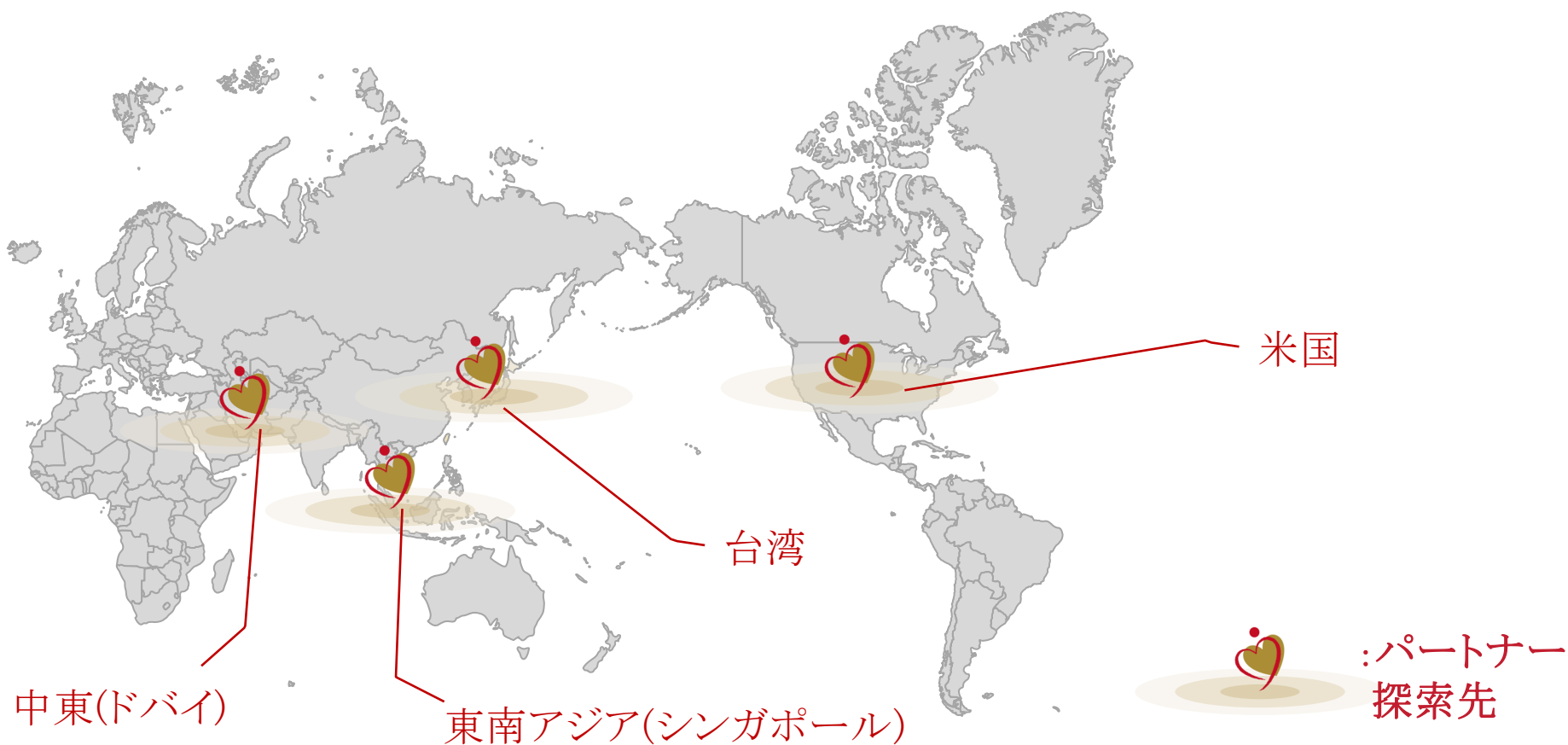
補助金の獲得

事業計画/成長戦略

海外展開

- ・ 日本だけではなく、国外でのパートナー探索を継続
- ・ 日本におけるiPS心筋シートの上市を起点に、海外展開を加速

海外パートナー探索先(日本含む)



米国展開

- 2025年6月にiReheart Inc.を設立
- スタンフォード大学と共同研究契約を締結

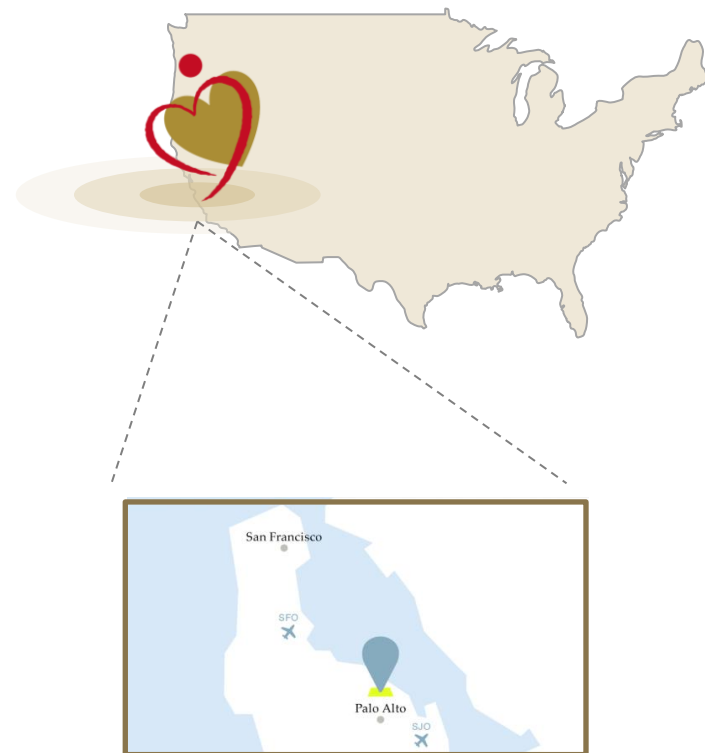
iReheart Inc.設立

- 経済産業省が米国カリフォルニア州パロアルトに設立したビジネス拠点「ジャパン・イノベーション・キャンパス」内に設立
- 経済産業省によると、「日本にグローバルなスタートアップ・エコシステムを構築し、世界に勝てるスタートアップを創出するためには、海外のイノベーション拠点・人材のネットワークが重要であり、日本政府として、米国での事業創出・拡大に取り組むスタートアップ企業を強力にサポートすること」が本ビジネス拠点の開設目的
- シリコンバレーの地の利を活かし、ビジネスチャンスの獲得にも注力

スタンフォード大学との共同研究契約

- スタンフォード大学は、2024 年-2025 年の「U.S. News & World Report」誌の Best Hospitals Honor Roll 特集号において、循環器科、心臓・血管外科、肺・呼吸器外科で全米トップの病院の一つに選定
- 共同研究を通じ、FDAへの治験薬申請に使用するデータを収集。米国での治験の実施を目指す

- 心筋シートの次世代改良版の開発
- 新しいコンセプトのiPS細胞由来製品の開発
- 将来のパートナー探索等の現地活動強化
- 補助金獲得への取り組み



出所：経済産業省 シリコンバレー（仮称）拠点案内

次世代モダリティ開発を促進する細胞大量製造システムに係る共同開発開始

細胞大量培養システムに係る技術、ノウハウ、知見を呼び込み、そのバリューチェーン構築を促進するオープンイノベーションを強力に推進する

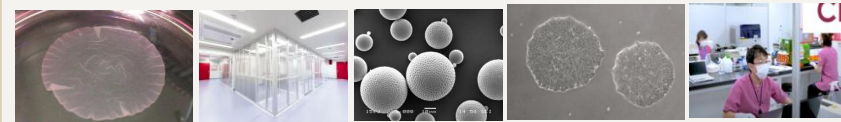
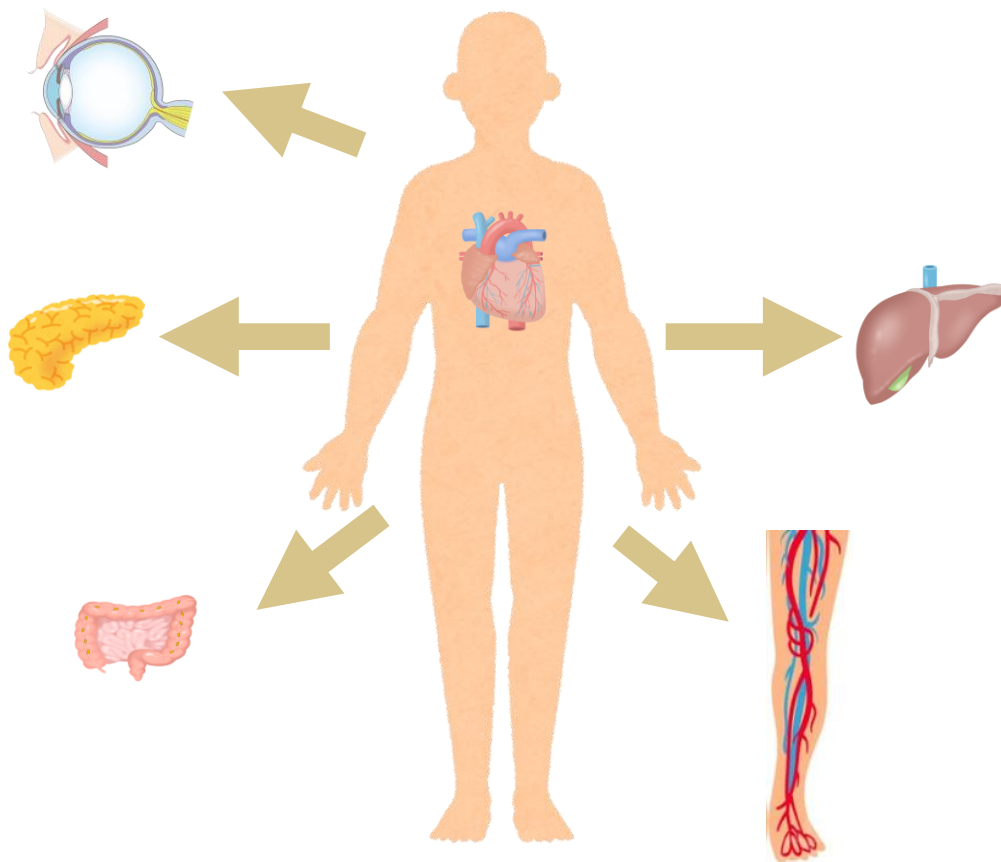
コンソーシアムの目指す姿

継続的な循環開発により大量製造技術の世界をリードする



パイプラインの拡充

iPS心筋シートの承認取得に注力するも、中長期的に製品ポートフォリオの拡充も推進



知見・
経験

ノウ
ハウ

知的
資本

人的
資本

ネット
ワーク

製造
資本

...

iPS心筋シートや体内再生因子誘導剤(YS)で獲得した様々な技術・成果・資本を活用

多臓器への展開にも挑戦

IPOによる調達資金の使途

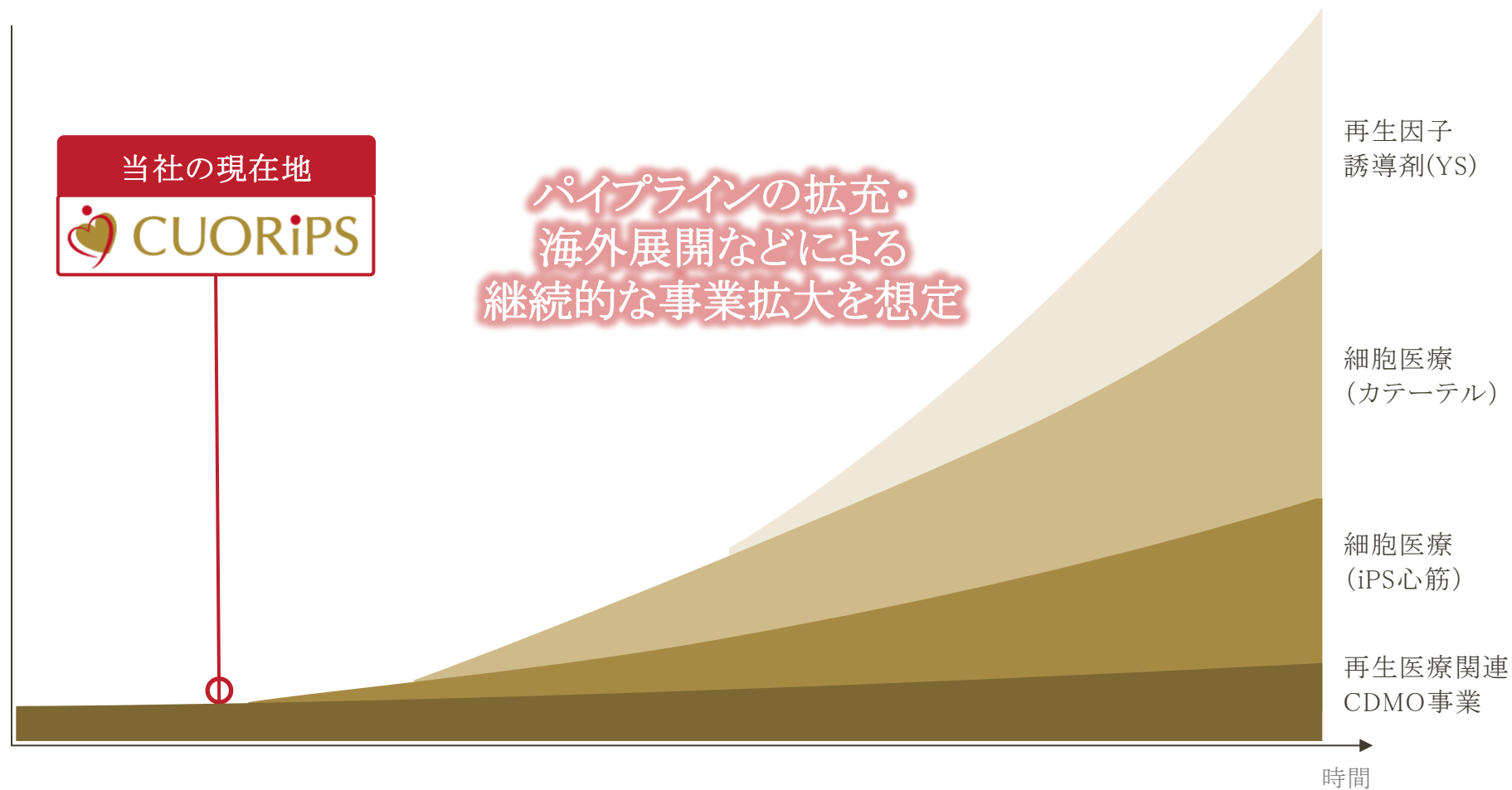
- ・複数パイプラインの研究開発活動を加速させ、収益を多角化
- ・細胞治療事業、CDMO事業の生産能力拡大

パイプライン		2024/3期 実績	2025/3期 実績	2026/3期以降 計画	主な資金使途
iPS心筋シート	PJ 2 拡張型心筋症 (DCM)	0.2億円	—	4.3億円	臨床試験
iPS心筋シート	PJ 3 海外 虚血性心筋症 (ICM)	0.3億円	0.2億円	5.5億円	臨床試験
カテーテル	PJ 4 急性心筋梗塞 (AMI) 慢性完全閉塞 (CTO)	0.2億円	0.4億円	14.8億円	非臨床試験、臨床試験
設備投資		—	—	3.0億円	生産能力拡大を目的とした 新たな細胞培養加工施設の建設
計		0.7億円	0.6億円	27.6億円	

共同研究開発パートナーから受領する共同研究開発費受入額を控除して記載しております。
上記金額は、現時点での想定であり、実際の研究開発及び設備投資の金額・時期は異なる可能性があります。

今後の事業拡大のイメージ

売上収益の成長イメージ



リスク情報

主な事業リスクと対応策

当社グループの認識する主なリスクと対応策は以下のとおり

リスク	リスクの概要	発生可能性	影響度	対応について
研究開発の不確実性について	- 製品の開発活動が想定どおり進まない、又は承認の取得に想定以上の時間を要することで、製品の上市時期の遅れが生じるリスク。 - 当社製品の安全性や有効性が認められず、製品の開発を中止する場合若しくは製造販売承認が取得できない、又は適応対象の限定など当初想定どおりの内容の承認を取得できないリスク。	中	大	- 研究機関及び大手製薬企業との提携や優秀な人材を確保することで、研究開発体制を強化し、研究開発を加速化。 - 複数のパイプラインによる収益の多角化を進め、特定のパイプラインによる収益依存度の低減。
小規模組織及び少数の事業推進者への依存について	人材の確保や育成が順調に進まない場合、また人材の流出が発生した場合、研究開発活動や製造活動等に遅延が生じるリスク。	中	大	優秀な人材の確保と育成、経験、見識及び人脈等の承継。
薬価制度と医療費抑制政策について	日本においては、増嵩する医療費を抑制するため、定期的な薬価の引き下げや後発医薬品の使用促進等が進んでいることによる、当社製品について将来的に薬価が大きく引き下げられるリスク。	中	大	- 複数のパイプラインによる収益の多角化を進め、特定のパイプラインによる収益依存度の低減。 - 米国その他海外への進出による対象国の分散。

上記以外のリスク事項及び詳細なリスク情報については、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご覧ください。

■ ディスクレーム

- 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グループに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。
- 本資料は、毎年6月を目途に開示を行う予定ですが、それに関わらず、記載内容に重要な変更が生じた場合には、速やかにその内容について開示いたします。
- 本資料に含まれる当社グループ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グループ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。