



# 事業計画及び成長可能性 に関する事項

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

2021年9月24日

## 1. 企業概要

---

当社は、医療現場の課題を解決するための  
多様なモダリティ（医薬品、医療機器、  
人工知能（AI）ソリューション等）を、  
医療現場で研究開発し、  
ヒトが心身共に生涯にわたって  
健康を享受できるための  
新しい医療を創造したいと考えます



## バイオベンチャーのイメージ

- 高い研究開発費（治験費用）
- 長い研究開発期間
- 自社内研究開発
- 特定のシーズ・技術に依存
- 限られた数のパイプライン



## 当社の特徴

- 自己資金負担を抑えた研究開発
- 効率的な研究開発（期間、人手）
- オープンイノベーション
- 有望シーズ・最新技術の継続的導入
- 多くのパイプライン

当社は医薬品等の理想的な開発のあり方を実践するバイオベンチャー

**2020年度  
年間研究開発費  
8,143万円**

内訳  
(自己負担1,260万円、公的資金6,883万円)

別途、当社プロジェクトに関わる  
公的資金として総額4.2億円を獲得  
(2020年度。当社及び共同研究先の金額総計)

**臨床段階  
パイプライン数  
8本**

第Ⅲ総 1本 (内、開始準備中1本)  
第Ⅱ相 5本  
第Ⅰ相 1本 (内、開始準備中1本)  
臨床研究 1本 (内、開始準備中1本)  
(2021年度)

**医師主導治験  
実施件数  
21件**

第Ⅲ相 1件  
第Ⅱ相 12件  
第Ⅰ相 7件  
Pivotal 1件 (内視鏡)  
(2011年~2021年)

**役職員数\***  
**12人**

研究開発関連 5人  
管理部 5人  
(2021年6月)

\* 非常勤役員・監査役除く

**医師主導治験  
実施実績  
46機関**

(2011年~2021年)

**契約締結  
パイプライン数  
7本**

ライセンス 3件  
オプション 3件  
優先交渉権 1件  
(2021年6月)

・ 次回の開示は、2022年3月期の決算発表時を予定しております。

## 会社概要

会社名	株式会社レナサイエンス (Renaissance Inc.)												
所在地	東京都中央区日本橋本町 2-3-6												
資本金*1	901,587千円 (資本準備金含む)												
設立	2000年2月15日												
従業員数*1	7名 (パート社員除く)												
事業内容	医薬品・医療機器・人工知能ソリューション等の開発・販売等 (東北大学発のバイオベンチャー)												
株主構成*1	<table border="0"> <tr> <td>ファウンダー</td> <td>: 6,870,000株 (68.5%)</td> </tr> <tr> <td>VC</td> <td>: 3,032,400株 (30.2%)</td> </tr> <tr> <td>大塚ホールディングス</td> <td>: 36,600株 ( 0.4%)</td> </tr> <tr> <td>第一三共</td> <td>: 30,000株 ( 0.3%)</td> </tr> <tr> <td>東北化学薬品</td> <td>: 30,000株 ( 0.3%)</td> </tr> <tr> <td>元役員</td> <td>: 30,000株 ( 0.3%)</td> </tr> </table>	ファウンダー	: 6,870,000株 (68.5%)	VC	: 3,032,400株 (30.2%)	大塚ホールディングス	: 36,600株 ( 0.4%)	第一三共	: 30,000株 ( 0.3%)	東北化学薬品	: 30,000株 ( 0.3%)	元役員	: 30,000株 ( 0.3%)
ファウンダー	: 6,870,000株 (68.5%)												
VC	: 3,032,400株 (30.2%)												
大塚ホールディングス	: 36,600株 ( 0.4%)												
第一三共	: 30,000株 ( 0.3%)												
東北化学薬品	: 30,000株 ( 0.3%)												
元役員	: 30,000株 ( 0.3%)												

## 沿革

- 2000年 2月 大学発の創薬ベンチャーとして(株)レナサイエンスを設立
- 2002年 10月 大学発事業創出実用化研究事業 (経産省、後にNEDOに移管) に採択
- 2010年 12月 統合失調症の前期第Ⅱ相試験 (医師主導治験) を開始
- 2012年 10月 科学技術振興機構の研究成果最適展開支援プログラム (A-STEP) に採択
- 2014年 10月 科学技術振興機構の研究成果最適展開支援プログラム (A-STEP) に採択
- 2016年 10月 [Eirion Therapeutics, Inc. \(米\) と皮膚科用薬としてのライセンス契約を締結](#)
- 2017年 8月 慢性骨髄性白血病の前期第Ⅱ相試験 (医師主導治験) を開始 (東北大学、東海大学、秋田大学で実施)
- 2018年 1月 極細内視鏡の医師主導治験を開始 (順天堂大学、東京慈恵会医科大学)
- 2018年 6月 自閉スペクトラム症の第Ⅱ相試験 (医師主導治験) を開始 (東北大学、大阪市立総合医療センター等、13医療機関で実施)
- 2019年 3月 [大塚ホールディングス\(株\)と投資契約締結](#)
- 2019年 8月 慢性骨髄性白血病の後期第Ⅱ相試験 (医師主導治験) を開始 (東北大学、東海大学、秋田大学で実施)
- 2019年 12月 日本医療研究開発機構 (AMED) 医療研究開発革新基盤創成事業 (CiCLE) 事業に採択
- 2019年 12月 [あすか製薬\(株\)と月経前症候群/月経前不快気分障害の共同開発及びオプション契約を締結](#)
- 2020年 5月 [Baxter Healthcare Corporation \(米国\) と極細内視鏡に関するライセンス契約を締結](#)
- 2020年 7月 [チェスト\(株\)と呼吸器AIに関するライセンス契約を締結](#)
- 2020年 10月 [新型コロナウイルス感染症に伴う肺傷害に対する前期第Ⅱ相試験 \(医師主導治験\) を日・米・トルコで開始](#)
- 2020年 12月 [月経前症候群/月経前不快気分障害の第Ⅱ相試験 \(医師主導治験\) を開始](#)
- 2020年 12月 [第一三共\(株\)と新型コロナウイルス感染症等の肺疾患に関するオプション契約を締結](#)
- 2021年 3月 [AMED 新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業に採択](#)
- 2021年 5月 [ニプロ\(株\)と人工知能\(AI\)透析医療の開発に関する共同研究契約を締結](#)
- 2021年 5月 [AMED 橋渡し研究プログラムシーズCに採択](#)
- 2021年 6月 [新型コロナウイルス感染症に伴う肺傷害に対する後期第Ⅱ相試験 \(医師主導治験\) 開始](#)
- 2021年 7月 [メラノーマの第Ⅱ相試験 \(医師主導治験\) を開始](#)

\*1: 2021年6月現在



**宮田 敏男** / 取締役会長  
医師 医学博士  
東北大学大学院医学系研究科教授  
ベルギー王室医学アカデミー会員  
米国ノースウェスタン大学医学部客員教授



**内藤 幸嗣** / 代表取締役社長  
理学博士  
田辺三菱製薬にて、研究職としてバイオ医薬品等の開発に従事。その後、事業開発部門に異動、国内外企業とのライセンス活動に従事



**池田 和博** / 取締役管理管掌  
日興証券（現SMBC日興証券）、東京三菱証券（現三菱UFJモルガン・スタンレー証券）公開引受部部長を歴任



**加藤 翔** / 取締役研究開発管掌  
人工知能（AI）事業のプロジェクトマネージャー



**東 康夫** / 社外取締役  
東北化学薬品（JASDAQ）  
取締役会長等を兼務



**市川 充** / 社外取締役  
弁護士  
東証一部上場企業の社外監査役、  
東京弁護士協同組合専務理事を兼務



**松垣 幹夫** / 社外常勤監査役  
政府系金融機関を経て、  
工業団体の理事・事務局長等を歴任



**伊藤 秀行** / 社外監査役  
税理士  
税務署長、東証一部上場企業の  
常勤監査役等を歴任



**安藤 英廣** / 社外監査役  
そーせいグループ等にてライセンス  
活動部門の本部長等を歴任

# 当社の有する研究機関・医療機関とのネットワーク

当社の20年の蓄積により多くの研究機関・医療機関とのネットワークを構築済み  
当社は産官学オープンイノベーション創薬エコシステムのハブとしての役割を担う

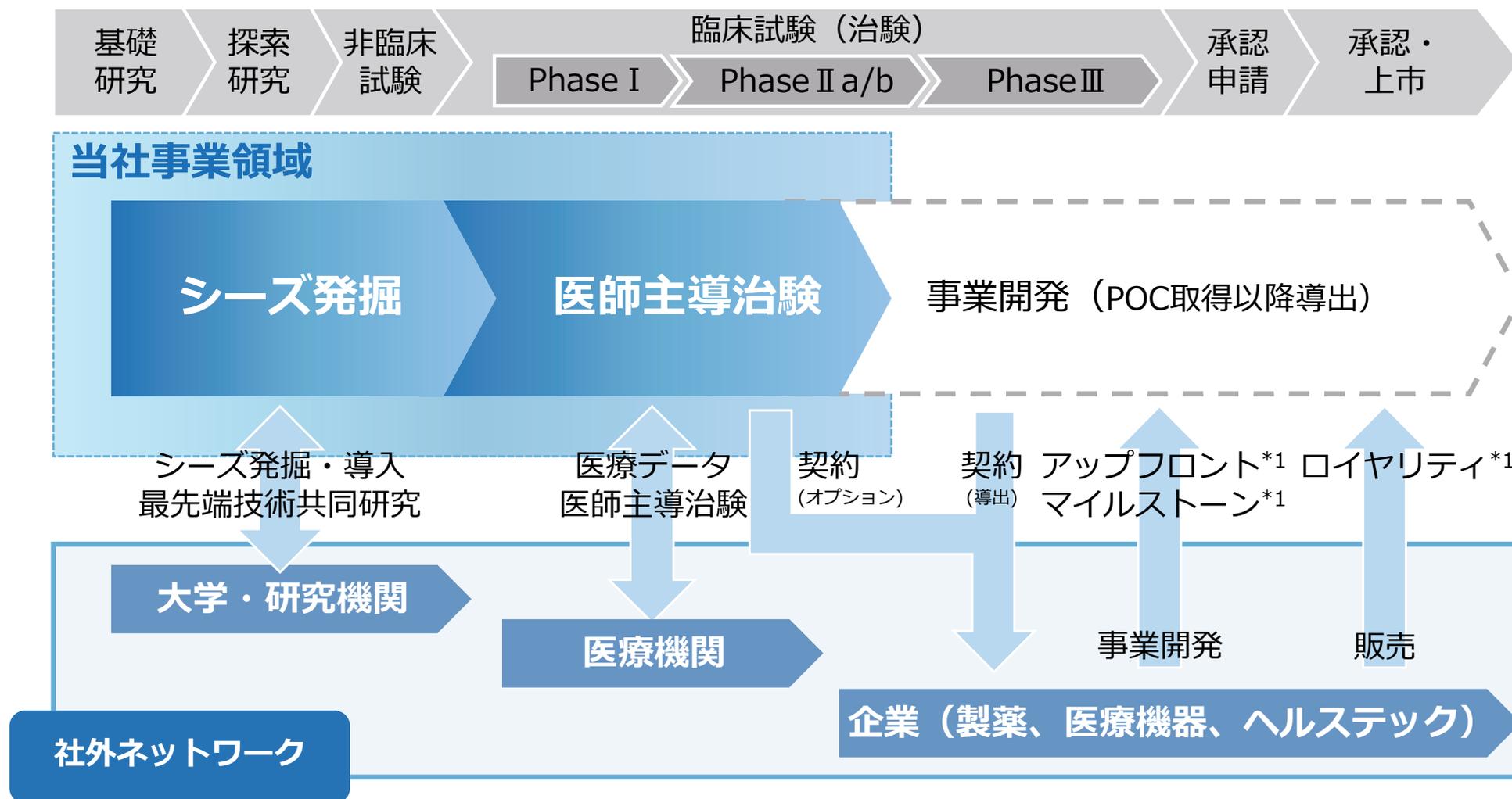
## 産官学連携オープンイノベーションのHUB

大学・研究機関	医療機関	政府系機関	事業会社
<p>シーズ導入 基礎研究 最先端科学技術</p>	<p>医療課題 医師主導治験 医療データ</p>	<p>公的資金 薬事規制</p>	<p>ライセンス契約 共同研究 シーズ導入</p>
	 <p>他30施設</p>		

# 当社のビジネスモデル

当社は、多くの大学・研究機関等から多様なモダリティのシーズ（医薬品、医療機器、AIソリューション等）を獲得し、医師主導治験を活用して事業化への橋渡しを具現化できるベンチャー企業

## 医薬品開発の場合（医療機器・AIの場合は開発プロセスが異なる）



\*1: 「アップフロント」は導出契約時の一時金、「マイルストーン」は治験進捗による一時金、「ロイヤリティ」は上市後の販売額に応じた収益

- 医学あるいは社会の重要な課題を解決
- 心身共に健康を享受できる医療を創造

## 老化関連疾患

### 非感染性疾患（NCDs）

がん・糖尿病・  
呼吸器疾患・循環器疾患

慢性骨髄性白血病（医薬品）  
メラノーマ（医薬品）  
間質性肺炎（医薬品）  
糖尿病（医薬品、AI）  
呼吸器（AI）  
腎臓透析（AI）  
嚥下障害（AI）  
腎臓腹膜透析（内視鏡、医療機器）

## 女性・小児疾患

月経前気分不快障害（医薬品）  
更年期障害（医薬品）  
自閉症（医薬品）  
小児代謝性疾患（診断薬）  
小児学習障害（AI）  
乳がん（AI）

## 新型コロナウイルス感染症

自宅待機の悪化予防  
入院中の重症化阻止  
後遺症の改善

# 開発パイプライン一覧 (1)

当社PAI-1阻害薬 (RS5614、RS5441) は当社とアカデミアにより創出され、過去のPAI-1阻害薬候補にない安全性・有効性を確認済み

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ					共同研究	導出・提携先企業
			探索	前臨床	Ph1	Ph2	Ph3		
低分子 PAI-1 阻害薬	RS5614	慢性骨髄性白血病(CML)	→			Ph2bでPOC獲得 Ph3計画中		東北大学 東海大学 秋田大学	
		COVID-19肺炎	→			(日本) Ph2a終了 Ph2b組入れ中 (米・トルコ) Ph2実施中		東北大学 など20施設  NWU*1 Medeniyet大学	 Daiichi-Sankyo (オプション) 第一三共株式会社
		メラノーマ (悪性黒色腫)	→			Ph2実施中		東北大学 筑波大学 駒込病院 名古屋市立大学 近畿大学 熊本大学	
		間質性肺炎	→					京都大学	
	RS5441	脱毛症	→		Ph1準備中			NWU	 eirion (ライセンス) Eirion Therapeutics, Inc.

\*1: NWU=Northwestern University

当社で開発を進めるピリドキサミンは神経伝達物質の産生や代謝に関与することから、メンタルストレス疾患への可能性を有している

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ						共同研究	導出・提携先企業	
			探索	前臨床	Ph1	Ph2	Ph3	申請・承認			
低分子 ピリドキサミン	RS8001	自閉スペクトラム症*1	→			→	→	→	Ph2結果解析中*1	東北大学 大阪総合医療C など13施設	
		PMS/PMDD	→			→	→	→	Ph2実施中	近畿大学 東北大学 東京医科歯科大 東京女子医大	 あすか製薬 (オプション) あすか製薬株式会社
		統合失調症*1	→			→	→	→	Ph2結果解析中*1	都立松沢病院 東北大学	
		更年期障害	→			→	→	→	臨床研究準備中	東京医科歯科大	

\*1: 統合失調症及び自閉スペクトラム症の第II相試験を通して、精神疾患の第II相試験における以下の課題が明確となりました。

- ① 適切な対象患者の選定 (統合失調症、陰性症状; 自閉スペクトラム症、聴覚過敏・易刺激性)
  - ② プラセボ効果を減少する治験計画 (例えば、PMS/PMDDでのプラセボリードイン方式)。
- 統合失調症及び自閉スペクトラム症においては上記の知見に基づく試験デザインでの次相治験が必要と考えます。

モダリティ	開発コード	適応症	開発ステージ			共同研究	導出・提携先企業
			探索	開発	事業化		
医療機器	RS9001	腹膜透析 (ディスプレイ ザブル極細内 視鏡)	→			東北大学 順天堂大学 東京慈恵医大 東京大学 東海大学 福島医科大	<b>Baxter</b> (ライセンス) Baxter Healthcare Corporation
AI	RSAI01	呼吸機能 検査診断	→			京都大学 NECソリューション イノベータ	 (ライセンス) チェスト株式会社 \Orchestrating a brighter world <b>NEC</b> NECソリューション イノベータ
	RSAI02	慢性透析 システム支援	→			聖路加国際大 東北大学 東京大学 NEC 等15施設	 (共同研究) ニプロ株式会社 \Orchestrating a brighter world <b>NEC</b> 日本電気株式会社
	RSAI03	糖尿病 治療支援	→			東北大学 NEC	\Orchestrating a brighter world <b>NEC</b> 日本電気株式会社
	RSAI04	嚥下機能評価	→			東北大学 NEC	\Orchestrating a brighter world <b>NEC</b> 日本電気株式会社
	RSAI06	小児発達障害	→			東北大学 NEC	\Orchestrating a brighter world <b>NEC</b> 日本電気株式会社
診断薬	-	フェニル ケトン尿症	→			東北大学	

\*1: NECグループは、AI研究開発の共同研究パートナー

	患者数	当社開発品のユニーク点	治療標的セグメント患者数	(参考)類似品1日薬価	服薬日数想定	競合品・開発品	
RS5614 (PAI-1阻害薬)	CML (Ph2b終了)	日本：1.4万人*2 米国：5.4万人*3	<ul style="list-style-type: none"> <li>TKI併用でCML幹細胞を除去</li> <li>TKI単剤では再発リスクが高いが、当社RS5614は根治療法に繋がる(速やかなCML根治が期待できる)</li> </ul>	日本：0.8万人 米国：3.2万人  患者数の60% (TKI5年治療でDMRに達しない比率*4)	グリベック 日本：8,910円 米国：38,079円	300日 (副作用が少ないため)	<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な作用が期待される臨床ステージなし</li> <li>プロトコル上、第一世代・第二世代ともに併用可能</li> <li>安価なイマチニブ(ジェネリック) + RS5614で根治が期待される</li> </ul>
	COVID-19 肺炎 (Ph2)	日本：189万人*5 米国：1,204万人*5 (年間患者数を2021/5新規感染者数×12ヶ月と想定)	<ul style="list-style-type: none"> <li>肺微小血栓、気道炎症、線維化に対する多面的効果、肺上皮細胞保護作用</li> <li>重症化を阻止</li> <li>新型コロナ肺炎だけでなく様々なARDSの重症化阻止</li> </ul>	日本：38万人 米国：241万人 (年間想定)  感染者の20%(呼吸困難、咳・痰などの肺炎症状が増悪し入院する比率*7)	グリベック 日本：8,910円 米国：38,079円*6	14日間	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗リウマチ薬(JAK阻害薬)</li> <li>IL6阻害薬 アクテムラ(大阪大学、中外製薬)</li> </ul>
	メラノーマ (Ph2)	日本：0.4万人*8 米国：10万人*9	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口投与可能な免疫チェックポイント阻害薬</li> <li>がん免疫賦活作用</li> <li>免疫チェックポイント抗体医薬との相乗効果</li> <li>他がんへの適応拡大期待</li> </ul>	日本：0.32万人*10 米国：8万人*11  患者数の80%(米国でFirst-Lineとして80%が免疫チェックポイント抗体投与を受けている)	グリベック 日本：8,910円 米国：38,079円	84日	<ul style="list-style-type: none"> <li>経口チェックポイント阻害薬開発品なし</li> </ul>
				想定TAM*1 日本：221億円 米国：3,717億円	*2：2016年厚労省統計 *3：NIH「Cancer Stat Facts: Leukemia — Chronic Myeloid Leukemia (CML)」 *4：Journal of Clinical Oncology July 10, 2016 volume 34, number 20		
				想定TAM*1(6か月) 日本：472億円 米国：1兆2,837億円	*5：WHO Health Emergency Dashboard *6：CMLからの適応拡大前提 *7：厚生労働省「新型コロナウイルス感染症診療の手引き第5版」		
				想定TAM*1 日本：24億円 米国：2,559億円	*8：厚生労働省、平成26年患者調査 *9：皮膚悪性腫瘍ガイドライン2019 *10：がん研究振興財団「CANCER STATISTICS IN JAPAN 2014」 *11：Cancer management and Research 2020 12:5633		

\*1： 想定TAM=治療標的セグメント患者数×類似品1日薬価×服薬日数想定 (服薬率、当社製品市場シェア考慮前の想定)  
メラノーマ、COVID-19の薬価はCMLが最初に承認され薬価が付くことを前提としてCMLの薬価を適用

		患者数	当社開発品のユニーク点	治療標的セグメント患者数	(参考)類似品1日薬価	服薬日数想定	競合品・開発品
RS8001 (ピリドキサミン)	自閉スペクトラム症 (Ph2結果解析中)	日本：34万人 米国：157万人  *日本： 5~17歳人口× 2.5% (有病率*3)  米国： 5~19歳人口× 2.5% (有病率*3)	<ul style="list-style-type: none"> <li>易刺激性、感覚過敏を改善</li> <li>小児処方しやすい安全性の高さ*2</li> </ul>	日本：9万人 米国：42万人  *投薬対象は、日本70%*4 (医師アンケート調査) 米国27%*3 (米国自閉症小児で薬物治療を受けているのは27.2%)	アリピプラゾール 日本:120円 米国:3,387円	122日	<ul style="list-style-type: none"> <li>リスペリドン</li> <li>アリピプラゾール</li> <li>安全性の観点・作用機序が異なるので併用も可能</li> </ul> <p>*3 : JAMA Pediatr 2019 173: 153 *4: 脳と発達 2013 45:223</p>
	PMS/PMDD (Ph2)	日本：162万人 米国：401万人  女性人口*5 × 50% (有月経人口女性人口は女性の約半数*6) × 5% (有病率*7)	<ul style="list-style-type: none"> <li>月経周期に伴う重篤な精神症状を改善</li> <li>初めての承認薬を目指す</li> <li>女性にも処方しやすい安全性の高さ*2</li> </ul>	日本：162万人 米国：401万人  *投薬対象は、中等症~患者で100%を想定	ジェイゾロフト 日本:240円 米国:1,334円	122日	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗うつ薬</li> <li>ピル</li> <li>漢方</li> </ul> <p>*5 : 総務省統計局 *6 : ユニセフ プレスリリース *7 : Takeda, Tet al. Prevalence of premenstrual syndrome and premenstrual dysphoric disorder in Japanese women. Archives of women's mental health 9, 209-212 (2006).</p>
	統合失調症 (Ph2結果解析中)	日本：79.2万人*8 米国：260万人*9	<ul style="list-style-type: none"> <li>重篤なカルボニルストレス性統合失調症の症状改善</li> <li>陰性症状に対する効果</li> <li>極めて安全な薬剤*2</li> </ul>	日本：38.6万人 米国：130万人  患者の50%*10 (陰性患者数は総患者の50%)	アリピプラゾール 日本:514円 米国:4,194円	122日	<ul style="list-style-type: none"> <li>非定型抗精神病薬</li> <li>治療抵抗性患者に対して、クロザリルやカリプラジンよりも高い安全性、処方医師/機関の限定がない</li> </ul> <p>*8 : 厚生労働省 患者調査 *9 : TREATMENT ADVOCACY CENTER *10 : Psychiatry Advisor</p>

\*1 : 想定TAM = 治療標的セグメント患者数 × 類似品1日薬価 × 服薬日数想定 (服薬率、当社製品市場シェア考慮前の想定)

\*2 : 実際の臨床試験での有害事象が少ない

		患者数	当社開発品のユニーク点	治療標的セグメント患者数	(参考)類似品1日薬価	服薬日数想定	競合品・開発品
RS9001 (腹膜透析内視鏡)	腹膜透析 (承認申請準備中)	日本：0.9万人*2 台湾：0.6万人*3 韓国：0.7万人*4	<ul style="list-style-type: none"> <li>腹膜透析患者で留置されているカテーテルの中を通して非侵襲的に腹膜状態を観察可能</li> <li>腹膜透析のシェア拡大に貢献</li> </ul>	日本：0.9万人 台湾：0.6万人 韓国：0.7万人	21,600円～163,000円/回	1回/年	<ul style="list-style-type: none"> <li>開腹もしくは硬性鏡による侵襲的観察</li> </ul>
		想定TAM*1 日本：2～15億円 台湾：1～10億円 韓国：2～11億円		*2：一般社団法人 日本透析医学会 *3：社團法人台湾腎友生活品質促進協會 *4：Nature (2019) 9:5905   <a href="https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z">https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z</a>			
RS5441 (PAI-1阻害薬)	脱毛症	日本：1,717万人 米国：3,955万人	<ul style="list-style-type: none"> <li>女性の脱毛症にも適用可能</li> <li>作用機序が異なるため、競合品(5α還元酵素阻害薬)に見られる副作用懸念がない</li> <li>5α還元酵素阻害薬で不十分な患者に効果を示す可能性、また併用により相乗的に薬効を示す可能性</li> </ul>	日本：138万人*6 米国：308万人*6	N A	N A	<ul style="list-style-type: none"> <li>フィナステリド内服</li> <li>デュタステリド内服</li> <li>5%ミノキシジル外用剤 (OTC医薬品)</li> </ul>
		15歳以上男性人口 × 32% (有病率*5)	男性人口×薄毛対策をしている割合 12.1% × 市販の薬や漢方を使用している割合 20.6%	想定TAM*1 日本：745億円*7 米国：1,716億円*8		*5：Life Medica USA *6：リクルートライフスタイル *7：矢野経済研究所 発毛・育毛剤市場 *8：日本の市場規模×米国患者人口/日本患者人口	
RSAI02	慢性透析支援	日本：34万人  国内透析施設数 4,400	<ul style="list-style-type: none"> <li>血液透析の際に一定頻度で発生する急激な血圧低下イベントを正確に予測可能</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;前提&gt; 本システム使用料・月5万円/ (1施設)を課金 (仮定)</li> <li>&lt;想定TAM&gt; 5万円/月 × 12か月 × 4,400施設 = 26億円</li> </ul>	想定TAM*1 日本：26億円		<ul style="list-style-type: none"> <li>同様な研究開発品なし</li> </ul>

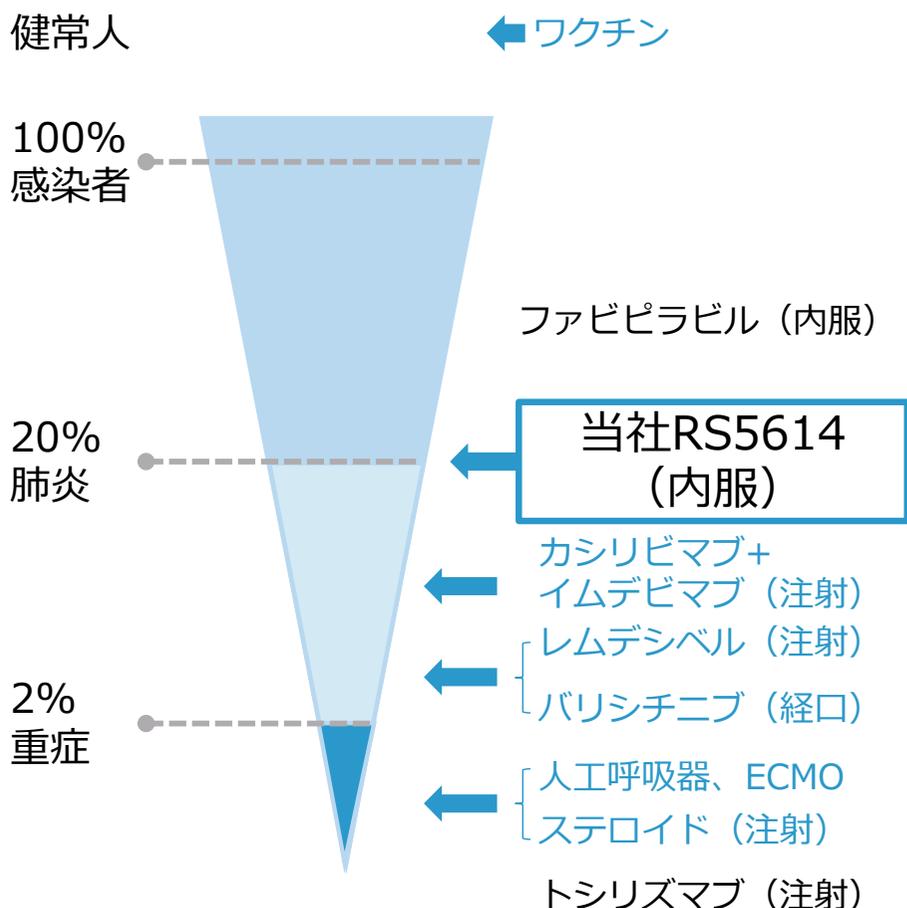
\*1： 想定TAM = 治療標的セグメント患者数 × 類似品1日薬価 × 服薬日数想定 (服薬率、当社製品市場シェア考慮前の想定)

## 2. 代表的なプロジェクト紹介

---

COVID-19の悪化や死亡率と血中PAI-1値の相関及びサイトカインストームへの悪化にPAI-1が直接関与している研究結果に着目し、RS5614のグローバル医師主導治験を迅速にスタート

## 新型コロナウイルス感染症の治療戦略\*1,2



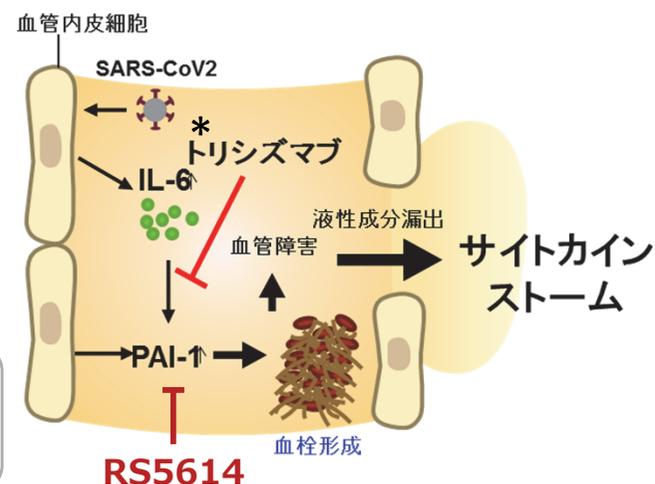
## 当社はCOVID-19肺炎の重症化の予防・治療薬を開発

- COVID-19肺炎の重症化を阻止し後遺症を改善する医薬品の開発は、喫緊の医学的・社会的な課題
  - 人工呼吸器が不足する地域や医療疲弊を起こしている施設
  - 軽症のため自宅あるいはホテル待機患者の重症化
  - 治療後も後遺症に悩む患者の増大
- COVID-19肺炎患者（中等症）を対象として、RS5614の治療効果と副作用を確認するための第Ⅱ相試験（医師主導治験）を、**日米欧の3地域で実施**
- 日本では前期第Ⅱ相試験を終了し、安全性を確認。**2021年6月から後期第Ⅱ相試験を開始**
- 第一三共とオプション契約**を締結（2020年12月）

## RS5614(PAI-1阻害薬)の作用機序

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

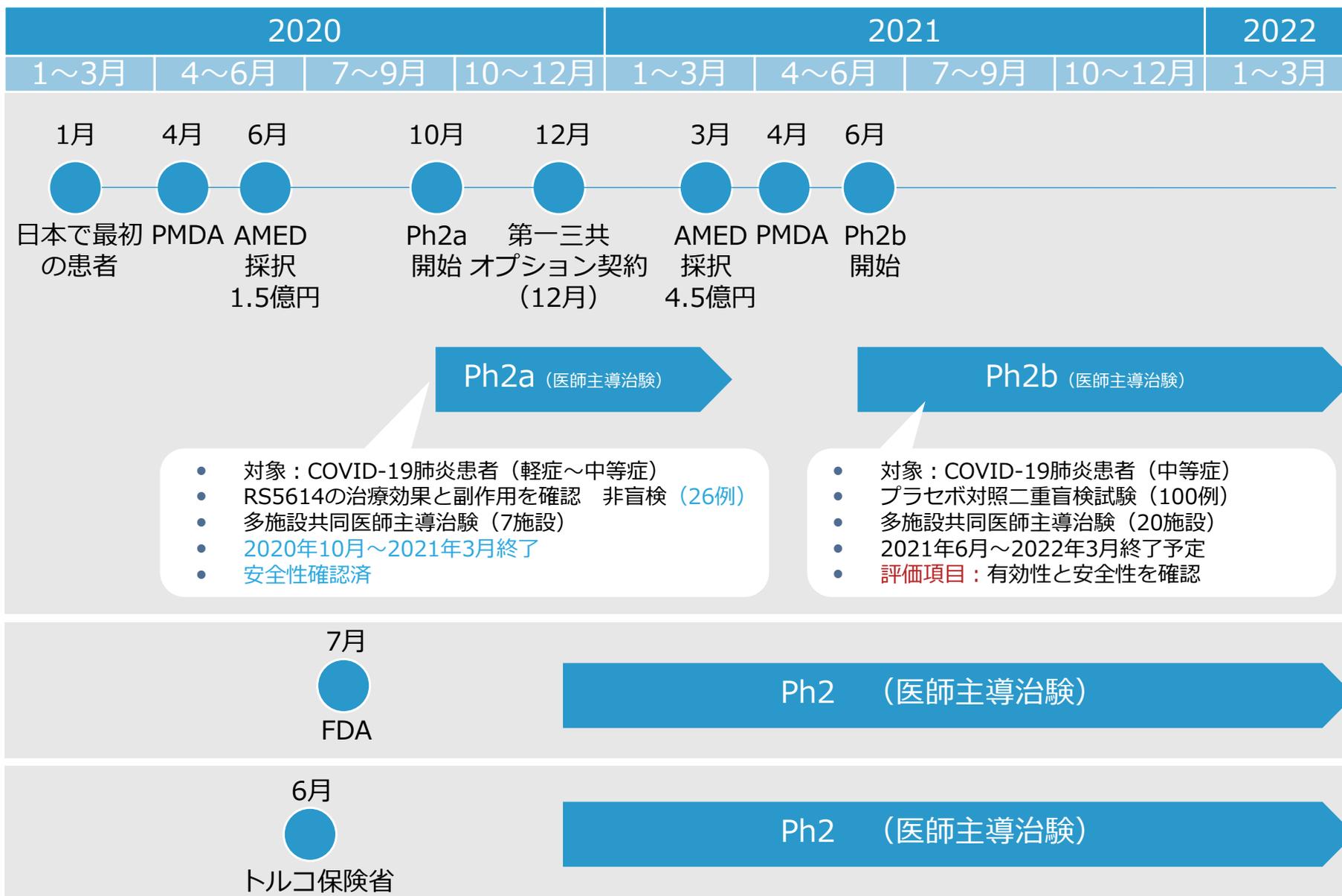
\* 中外製薬により開発中のトシリズマブ（抗IL-6受容体抗体）はPAI-1阻害によりCOVID-19重症化を阻止



\*1: 厚生労働省「新型コロナウイルス感染症診療の手引き第5版」

\*2: 青字は承認薬

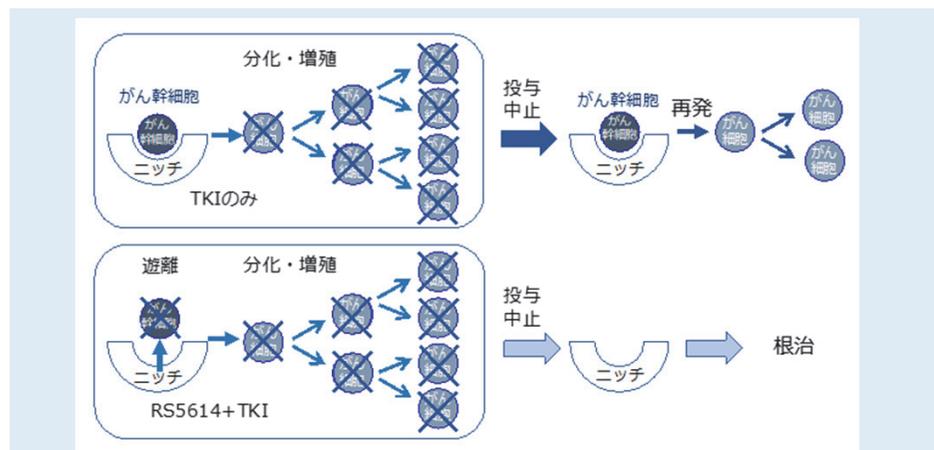
当社の開発する内服薬は外来処方可能であり、自宅・ホテル待機の軽症患者から使用可能  
肺保護薬・肺後遺症改善薬RS5614を、COVID-19発生初期から国内外で開発を開始



「がん幹細胞」を標的とした、がんの根治治療が期待される治療薬であり、類似薬・開発品は無い

## 当薬剤のコンセプト

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



## 特徴

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

## 後期第II相試験 (終了)

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

主要評価項目： DMRに到達した患者の累積達成率

## 治験結果

有効性： DMR達成率33.3% (POC取得)

TKI使用歴が3~5年の患者では50%

安全性： 1年投与でも安全性・忍容性に優れる

## 第III相試験 (準備中)

- 厚生労働省先駆相談、PMDA戦略相談
- 第III相医師主導治験の実施 (2022年4月予定)
  - ▶ デザイン： プラセボ対照二重盲検試験 (多施設共同)
- 試験終了後速やかな薬事承認を目指す

\*1： がんの原因遺伝子が検出されない状態

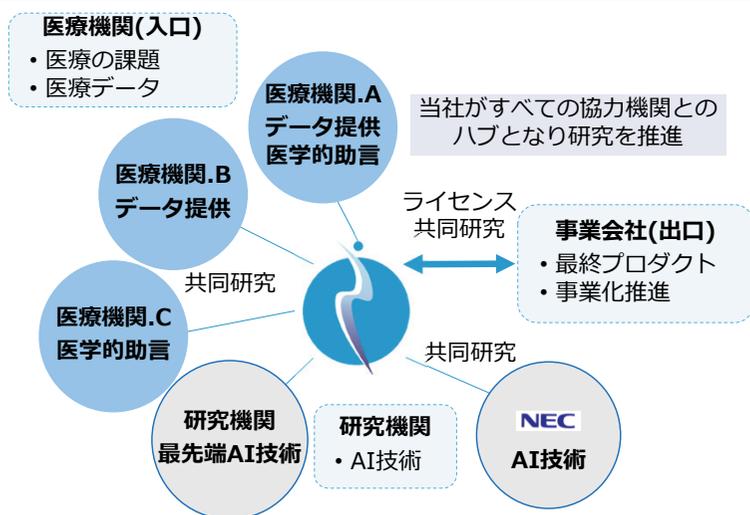
医師主導治験のネットワークと医療現場での研究開発ノウハウを人工知能（AI）の分野に生かす

## 異分野融合によりAI分野でも医療の価値を創造

「医療分野への人工知能（AI）の応用」は、大きな可能性を有する医療テーマ。しかし、それぞれのステークホルダーが、課題を抱えており、成功事例は画像への応用以外まだ少ない現状

	医療課題把握 医療データ	AIの知識	出口 (実用化)
医療機関	○	×	×
ITベンダー	×	○	×
ライフ系企業	×	×	○

## 異種企業の連携での開発体制



## 実地臨床（診断や治療）に直結

プロジェクト	共同研究・提携先		
	アカデミア・ 医療機関	ITベンダー	事業会社 ライフ系企業
RSAI01 呼吸機能検査	京都大学	NES	チェスト
RSAI02 透析システム	聖路加国際大学 東京大学 Hospyグループ 松和会グループ	NEC	ニプロ
RSAI03 糖尿病治療	東北大学	NEC	(協議中)
RSAI04 音声・口語 嚥下機能	東北大学 耳鼻科、 歯科口腔外科、 リハビリ テーション科	NEC	(未定)
RSAI06 小児発達障害	東北大学 東北メディカルメ ガバンク	NEC	(未定)

今後数年で10プロジェクト程度に拡大を目指す

### 3. 当社の強み・特徴

---

## 当社の強み・特徴

- 1 医療機関とのネットワークによる**医療現場**に密着した研究開発体制
- 2 **開発スピード**
- 3 **高品質・低コスト（自己資金）**での臨床開発体制
- 4 確度の高い出口戦略による**パイプライン価値最大化**

多くのモダリティを、基礎研究から医師主導治験まで一気通貫で繋げる研究開発が可能  
多数の診療科に亘る医師主導治験を同時に実施可能な医療機関ネットワーク

## 当社の研究機関・医療機関ネットワーク

## 医師主導治験の実績：21件\*1



### 【実施済み 15件】

- |                                  |                              |
|----------------------------------|------------------------------|
| 1. 統合失調症 Ph2a :                  | 東京都松沢病院                      |
| 2. 腹膜透析（極細内視鏡） :                 | 順天堂大学、東京慈恵会医科大学              |
| 3. 健康者（成人男性） Ph1 :               | 浜松医科大学                       |
| 4. 健康者（成人男性） Ph1 :               | 浜松医科大学                       |
| 5. 健康者（成人男性） Ph1 :               | 浜松医科大学                       |
| 6. 血液悪性疾患に対する<br>臍帯血移植 Ph2 :     | 東海大学                         |
| 7. 血液悪性疾患に対する<br>同種造血幹細胞移植 Ph2 : | 東海大学                         |
| 8. 軽度肥満者（男性） Ph1 :               | 浜松医科大学                       |
| 9. 軽度肥満者（男性） Ph1 :               | 浜松医科大学                       |
| 10. 健康者（成人男性） Ph1 :              | 浜松医科大学                       |
| 11. 健康者（成人男性） Ph1 :              | 浜松医科大学                       |
| 12. CML 前期Ph2 :                  | 東北大学・秋田大学・東海大学               |
| 13. CML 後期Ph2 :                  | 東北大学・秋田大学・東海大学               |
| 14. 自閉スペクトラム症 Ph2 :              | 東北大学等13の大学等医療機関              |
| 15. COVID-19肺炎 Ph2（日本） :         | 東北大学・京都大学・東海大学等<br>7の大学等医療機関 |

### 【実施中 5件】

- |                           |                        |
|---------------------------|------------------------|
| 16. PMS / PMDD Ph2 :      | 近畿大学・東京医科歯科大学・他        |
| 17. COVID-19肺炎 Ph2（米国） :  | ノースウエスタン大学             |
| 18. COVID-19肺炎 Ph2（トルコ） : | メディニエット大学<br>（トルコ政府大学） |
| 19. COVID-19肺炎 Ph2b :     | 東北大学等20施設              |
| 20. 悪性黒色腫 Ph2 :           | 東北大学・近畿大学・筑波大学等<br>6施設 |

### 【実施予定 1件】

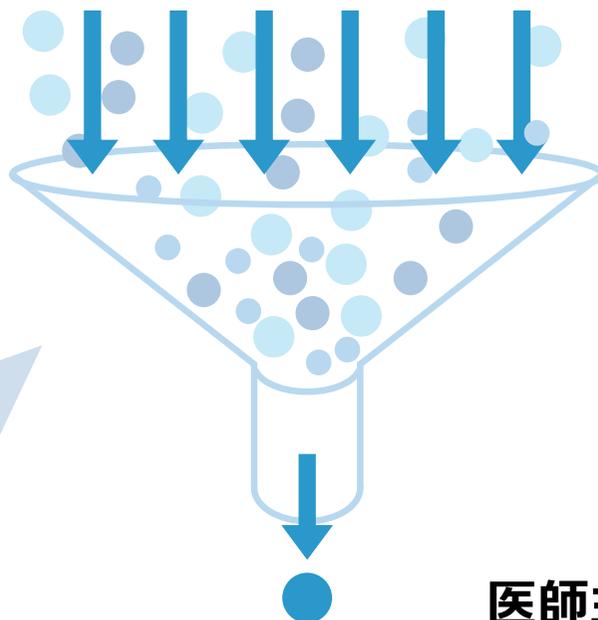
- |               |                         |
|---------------|-------------------------|
| 21. CML Ph3 : | 東北大学・秋田大学・東海大学<br>等10施設 |
|---------------|-------------------------|

\*1: 16: 2023年12月終了予定、17・18: 2022年3月終了予定、19: 2022年3月終了予定  
20: 2021年7月開始、21: 2022年4月開始予定

研究機関・医療機関ネットワークを活用し効率良くドラッグリポジショニング\*1が可能  
 科学・医学的、事業性の観点で実行すべきパイプラインを選択、医師主導治験に繋げる



多くの国内外研究者に自社シーズを供与



有望パイプラインの  
継続的創出

医師主導治験

- オープンリソースで効率的なドラッグリポジショニングを実施
  - ✓ 非臨床試験（薬理、作用機序）の視点から、圧倒的に多くの可能性を得ることができる
- 新たな適応症の可能性から、科学・医学的、事業性の観点から選択して医師主導治験に繋げる

\*1: 医薬品の新たな効能や適応疾患を見出すこと

医療機関（医師、診療科）のネットワークを通じて多施設共同治験を実施  
数々の学会やNPO法人からの医師主導治験支援

## 希少疾患の治験も実施

### 皮膚癌に対する多施設共同研究のためのプラットフォーム Japan Skin Cancer Network

\*RS5614 悪性黒色腫（メラノーマ）の例



## 多施設共同で大規模な治験を実施

- COVID-19肺炎  
東北大学、京都大学、東海大学、東京医科歯科大学など、20の大学等医療機関
- 悪性黒色腫（メラノーマ）  
東北大学、筑波大学、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学など、Japan Skin Cancer Network (JSCaN)
- AI（血液透析）  
聖路加国際大学、日本最大の透析医療グループなど
- 腹膜透析（極細内視鏡）  
聖路加国際大学病院、順天堂大学、東京慈恵会医科大学、東海大学、東北大学など
- 自閉スペクトラム症  
東北大学、大阪総合医療センターなど、13の大学等医療機関

## 2 開発スピードの速さ

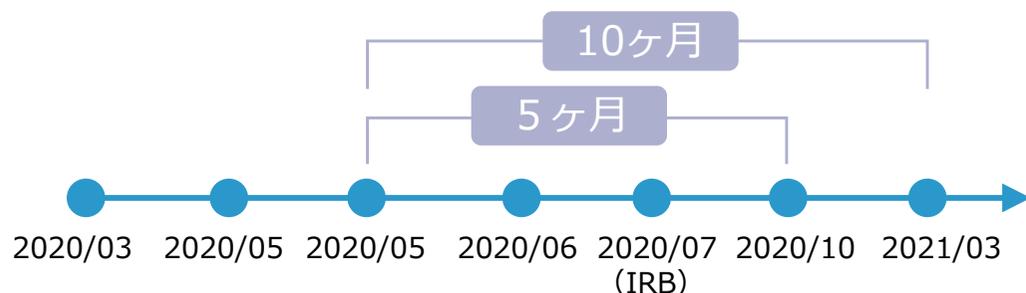
医師自らが医療現場の実態に合った枠組みで治験を推進  
外部環境変化（新型コロナウイルス感染症禍）でも治験の遅延への影響は軽減

### 当社の臨床開発はスピード感を伴う

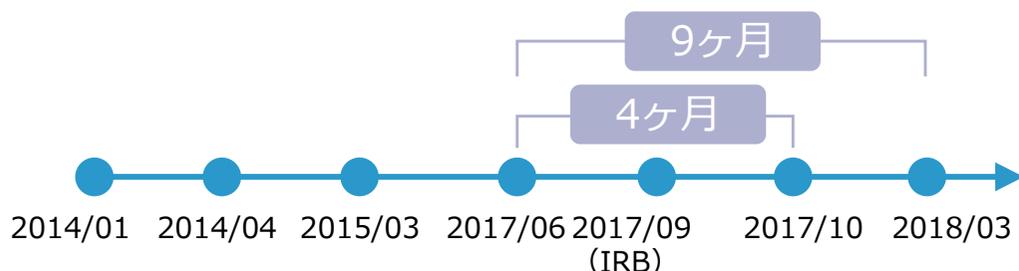
#### 迅速な臨床試験開始



#### RS5614\_COVID-19の事例（前期第II相試験）



#### RS5614\_慢性骨髄性白血病の事例（前期第II相試験）



#### 被験者組み入れ

#### 自閉スペクトラム症治験被験者組み入れ期間



被験者数71名

23か月

RS8001  
第II相医師主導治験  
施設数13

大塚製薬

被験者数92名

36か月

エビリファイ(アリピプラゾール)  
第III相企業治験  
施設数50

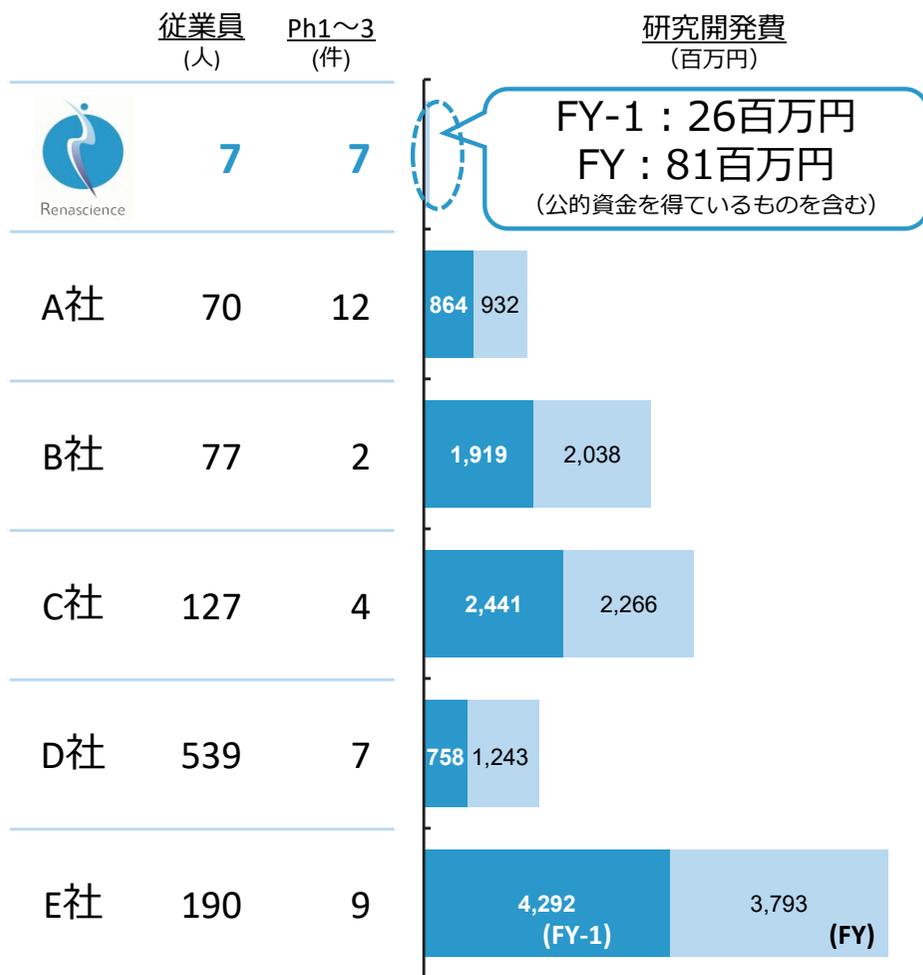
(出典：JAPIC臨床試験情報)

- ✓ RS8001第II相試験はアリピプラゾール第III相総試験の約5倍のスピード  
医療現場の実態に合った枠組みで実施。治験計画作成、規制当局との専門的な対応、患者登録など医師自らが治験を推進
- ✓ 新型コロナウイルス感染症禍でも治験の遅延への影響は軽減  
企業治験関係者（CRO等）は医療機関アクセスが制限されたが、医師主導治験ではAROの関与により影響を軽減

### 3 自己資金負担を最小化する臨床開発体制

医師主導治験の活用及び公的資金獲得により、治験の質を担保しながらも自己資金負担を最小化した臨床開発を具現化

#### 各社の研究開発費比較\*1



\*1: 低分子医薬を中心とする創薬パイプライン型企業  
 FY=直近決算  
 各社、従業員はFY(連結(当社のみ連結未作成のため単体)、臨時雇用者除く)。Ph1~3のパイプライン件数はFY時点  
 出所: 公表資料

#### 獲得実績のある外部公的資金



(事例1) RS5614\_慢性骨髄性白血病 計**9.3**億円  
 文科省0.4億円/JST0.6億円/AMED8.3億円  
 (2014-2020 ; 非臨床~後期第II相)

(事例2) RS5614\_COVID-19 計**6.0**億円  
 AMED1.8億円/AMED 4.2億円  
 (2020-2021 ; 前期第II相~後期第II相)

(事例3) RS5614\_悪性黒色腫 計**3.0**億円  
 AMED 3.0億円  
 (2021-2023 ; 第II相)

- 医薬品・医療機器の現パイプライン全てで公的資金を獲得
- すべて競争的資金

#### 医師主導治験の最大限活用

実施歴**21**件を誇る 国内ベンチャーではトップクラス(当社調査)

- 医師が自ら企画立案し治験を実施
- 企業治験よりも低コスト
- 専門の医師が主体となり実施することで、より高い治験の質を確保  
 (データの正確性だけでなく被験者脱落・計画書逸脱がないこと等)

# 4 確度の高い出口戦略によるパイプライン価値最大化

出口・導出・知財・開発費用・薬事などのロードマップを明確にした後に医師主導治験を実施  
 導出確率を高めるため、開発初期から導出候補先と協議しオプション契約なども活用

## 当社の開発出口戦略

医師主導治験までのロードマップを  
 明確にした開発戦略



**当社の取組み**  
 研究開発初期から出口戦略を固めて、  
 パイプライン情報や導出条件などを  
 導出先企業と協議することで導出確度を高める

## 出口 (導出) 実績

プロジェクト	非臨床	Ph1	Ph2	Ph3
RS5614 COVID-19			オプション	ライセンス交渉
RS5441 脱毛症				
RS8001 PMS/PMDD			オプション	ライセンス交渉
プロジェクト	探索段階	実証段階	事業化段階	
RS9001 極細内視鏡				<b>Baxter</b> ライセンス
RSAI01 呼吸機能診断検査				
RSAI02 透析システム支援			共同研究	ライセンス交渉

# 当社の強み（まとめ）

当社は『外部ネットワーク』を最大限活用する創薬エコシステムを有し、コストを抑えリターンの最大化を享受する事業モデルを構築



## 研究機関／医療機関との強固な連携体制

研究機関／医療機関とのネットワークを活用したシーズ発掘体制

## 開発スピードの速さ

基礎研究から医師主導治験まで一気通貫に開発を推進

## 複数の臨床試験を同時並行可能

医師主導試験を最大限活用することで自社リソース配分を最小化

## パイプライン価値を高める出口戦略

確実な出口戦略でパイプラインの価値を最大化

バイオベンチャーB

累積収支  
(イメージ)

## 自己資金負担の最小化

各種公的資金を活用することにより自社負担を最小化

開発失敗

## 低い事業リスク

多くの開発パイプライン  
医薬品、医療機器、AIソリューション  
など多彩なポートフォリオ

開発失敗

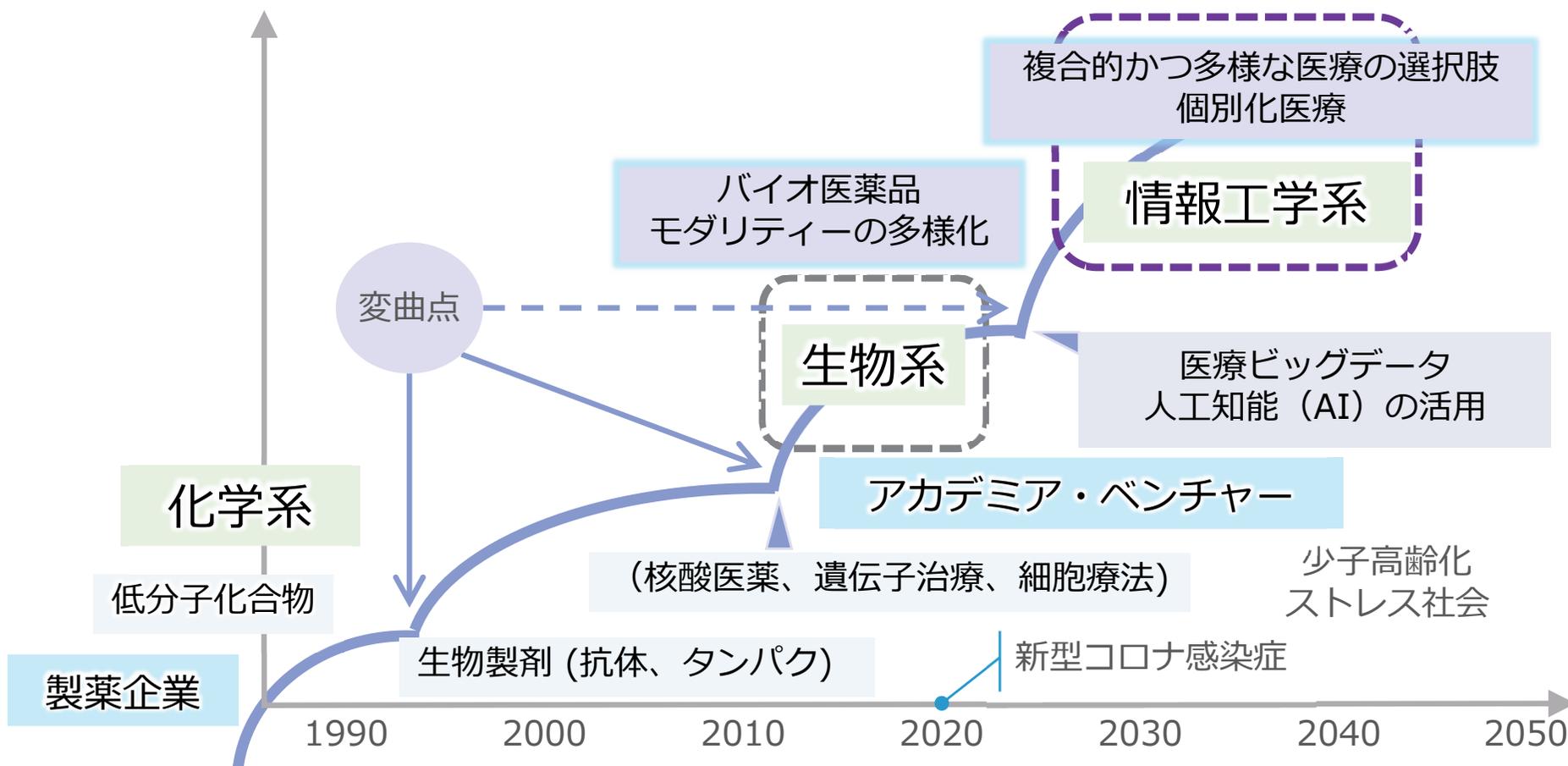
バイオベンチャーA

## 4. 成長戦略

---

## 医療の変遷とイノベーション（イメージ）

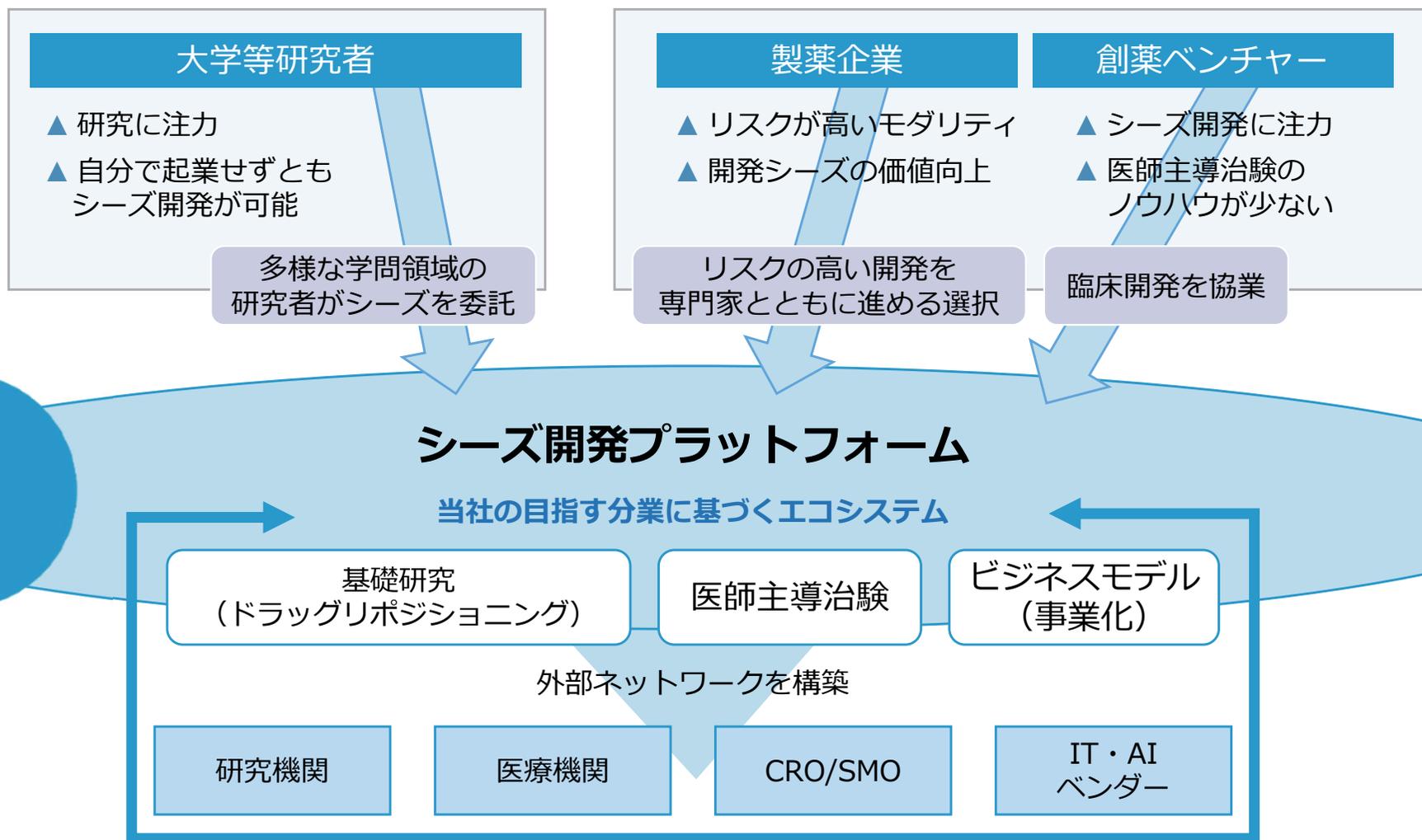
- イノベーションの社会実装までの期間が短縮（基礎から臨床への開発タイムラグの解消）
- ブロックバスター（多数）から個別化医療（個）への転換
- 大学発バイオベンチャーの役割の拡大（異分野融合での開発、医師主導治験）



# 当社の構築するパイプライン開発プラットフォームの拡大による成長

自社でバリューチェーンを生み出すモデルではなく、プラットフォーム形成でエコシステムを実現

少ないリソースで最大価値を創出する優位性（コミュニティから価値を引き出し、価値をもたらす）



## 将来の 事業領域

現在の疾患領域  
を継続

新たな疾患領域

## 現在の 疾患領域

### 新型コロナ ウイルス肺炎

自宅待機の悪化予防  
入院中の重症化阻止  
後遺症の改善

### 女性・小児疾患

月経前不快気分障害（医薬品）  
更年期障害（医薬品）  
自閉症（医薬品）  
小児代謝性疾患（診断薬）  
小児識字障害（AI）  
乳がん（AI）

新たなモダリティ

アカデミア  
提携拡大

## ビジョン

医学あるいは社会の  
重要な課題を解決

心身共に健康を享受  
できる医療を創造

### 老化関連疾患

#### 非感染性疾患（NCDs）

がん・糖尿病・呼吸器疾患・  
循環器疾患

慢性骨髄性白血病（医薬品）  
メラノーマ（医薬品）  
間質性肺炎（医薬品）  
糖尿病（医薬品、AI）  
呼吸器（AI）  
腎臓透析（AI）  
腎臓腹膜透析（内視鏡、医療機器）

製薬企業・ベン  
チャー企業との  
提携拡大

2021年度

現在

パイプライン		今後の開発計画				契約		
RS5614	CML	Ph2 2020/12 Ph2終了 POC済	第Ⅲ相医師主導 治験予定	オプション 契約	Ph3	承認申請 → 上市		
	メラノーマ		第Ⅱ相医師主 導治験準備中		Ph2	ライセンス 契約 → Ph3 → 承認申請		
	COVID -19	日本	Ph2a Ph2a 終了	Ph2b Ph2b 2021/06開始	ライセンス 契約	Ph2b後は 承認申請 or Ph3	Ph3 → 承認申請 → 上市 Ph3が必要なケース 承認申請 → 上市 Ph3をスキップするケース	
		欧州 (トルコ)		後期第Ⅱ相医師主 導治験実施		Ph2	Ph3	
		米国		第Ⅱ相医師主 導治験実施		Ph2	Ph3	承認申請
	間質性肺炎		第Ⅱ相医師主 導治験実施	非臨床試験		Ph2	Ph3	
RS5441	皮膚疾患				Ph1	Ph2 → Ph3	 (ライセンス契約締結済)	

  
Daiichi-Sankyo  
(オプション契約締結済)

2021年度

現在

パイプライン		今後の開発計画				契約	
RS8001	自閉スペクトラム症	Ph2 2020/12 Ph2終了	Ph3	承認申請			
	PMS/PMDD		Ph2	ライセンス契約	Ph3	承認申請	あすか製薬 (オプション契約締結済)
	統合失調症	非臨床試験	Ph2	ライセンス契約	Ph3		
	更年期障害		臨床研究	Ph2	ライセンス契約		
RS9001	極細内視鏡	承認申請 提携パートナーによる承認申請	上市	保険償還			Baxter (ライセンス契約締結済)

2021年度

現在

パイプライン		今後の開発計画			契約
AI	呼吸機能検査 診断	疾患モデル ライセンス契約	POCモデル 2021年度中に ステージ移行		CHEST チェスト株式会社 (ライセンス契約締結済)
	慢性透析支援	探索モデル	事業化モデル 2021/05ニプロ 共同研究契約締結	ライセンス 契約	NIPRO (共同研究契約締結済)
	糖尿病治療遅延	探索モデル	事業化モデル オプション 契約	ライセンス 契約	
	嚥下障害	探索モデル	事業化モデル オプション 契約	ライセンス 契約	
	小児発達障害		探索モデル	事業化モデル オプション 契約	ライセンス 契約
診断薬	フェニルケトン 尿症		臨床試験 2021/05 出願	ライセンス 契約	

### 企業価値を高め経営を安定する上で重要な目標

- 多様な研究領域に亘る研究機関との共同研究を推進し、既存医薬品候補群の適応疾患を拡大
  - ・ 自社シーズをオープンリソースとして外部研究者に提供し、ドラッグリポジショニングを推進
  - ・ 事業化に適切なプロジェクトを選択し医師主導治験を活用した臨床開発を実施
- 新モダリティ医薬品（核酸医薬、遺伝子治療、抗体医薬など）に亘る新規プロジェクトの導入と医師主導治験の実施
  - ・ 今後数年間で1~2の新規モダリティ（シーズ）を導入
- 人工知能（AI）を用いた医療ソリューションのプロジェクトを充実
  - ・ 今後数年間で10プロジェクト程度まで拡大

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

	リスクの概要	顕在化の可能性 /時期	顕在化した場合の影響度	対応策
収益の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 相手先の都合等により想定するタイミングでライセンス契約を締結できない可能性</li> <li>■ 契約一時金、マイルストーン収入は継続的な収入でなく、売上高・利益等が非連続的に偏重する可能性</li> </ul>	中/中長期	大	パイプラインプロジェクトの数を増やすと共に、複数の医薬品・医療機器開発等経験者及びビジネスディベロプメント経験者を社内外に確保するよう努めております。
研究開発の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 医薬品が上市されるまでには有効性及び安全性の評価に関する数多くの探索及び検証並びに規制当局からの承認が必要となり、不確実性が存在</li> </ul>	中/中長期	大	試験の設計及び実施においては、外部の開発ターゲットの疾患領域に精通する医師(キー・オピニオン・リーダー)、非臨床試験・臨床試験・CMC(Chemistry, Manufacturing and Control: 原薬及び製剤の開発)・薬事それぞれに精通する外部専門家(コンサルタント)並びに規制当局との事前相談を通じた情報収集に基づき試験の立案と実施を行っております。
資金繰りについて	<ul style="list-style-type: none"> <li>■ 医薬品の開発は長期にわたるものであり、収益に先行して研究開発費が発生</li> </ul>	中/中長期	大	営業キャッシュ・フローの早期黒字化に加え、金融機関との取引実績を積み重ねること等により、安定した資金調達を行えるようにします。

- 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の関連する業界動向等が含まれますが、これらに限られるものではありません。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、かかる情報の正確性、適切性等について当社は何らの検証も行っておらず、またこれを保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。