



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

2022年5月12日

1. 企業概要



- 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
- 2018年 1月 極細内視鏡の医師主導治験を開始
- 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
- 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
- 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（月経前症候群/月経前不快気分障害プロジェクト）
- 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（新型コロナ肺傷害プロジェクト）
- 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（メラノーマプロジェクト）
- 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
- 2021年 9月 東京証券取引所マザーズ市場に株式上場（証券コード：4889）
- 2021年11月 [ニプロ\(株\)と人工知能\(AI\)糖尿病の開発に関する共同研究契約を締結](#)
- 2022年 1月 東北大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（TREx）開設
- 2022年 3月 AMED 革新的がん医療実用化研究事業に採択（慢性骨髄性白血病プロジェクト）
- 2022年 4月 AMED 医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）に採択（糖尿病AIプロジェクト）

2022年3月期
年間研究開発費

8,271万円

[8,143万円]

内訳

自己負担2,163万円 [1,260万円]

公的資金6,108万円 [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6.2億円 [4.2億円] を獲得*
(2021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

9本 [8本]

第Ⅲ相 1本

第Ⅱ相 5本

第Ⅰ相 1本 (内、開始準備中1本)

臨床研究 2本 (内、開始準備中2本)
(2022年度)

医師主導治験
実施件数

21件 [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~2022年)

役職員数**

11人 [12人]

研究開発関連 6人

管理部 5人

(2021年12月)

**非常勤役員・監査役除く

医師主導治験
実施実績

52機関 [46機関]

(2011年~2022年)

契約締結
パイプライン数

8本 [7本]

ライセンス 3件

オプション 4件

優先交渉権 1件

(2022年3月)

* : 当社および共同研究先が獲得し、当社パイプラインの研究開発に活用した公的資金額を示します。

・ 次回の開示は、2023年3月期の決算発表時を予定しております。

[]内 : 昨年度の実績

パイプライン	ステージ	共同研究	補足
慢性骨髄性白血病	第Ⅲ相	東北大学、秋田大学、東海大学など12施設	日本医療研究開発機構（AMED）革新的がん医療実用化研究事業（2022～2024）
新型コロナウイルス肺傷害	後期第Ⅱ相	東北大学、京都大学、東海大学など20施設	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（2021）
悪性黒色腫（メラノーマ）	第Ⅱ相	東北大学、筑波大学、駒込病院など6施設	AMED 橋渡し研究プログラムシーズC（2021～2023）
FGF23関連性低リン血症性くる病	臨床研究	東京医科歯科大学	
自閉スペクトラム症	第Ⅱ相結果解析 導出先検討	東北大学、大阪総合医療センターなど13施設	AMED 革新的医療技術創出拠点プロジェクト（2017～2019）
月経前症候群（PMS）/月経前不快気分障害（PMDD）	第Ⅱ相	近畿大学、東北大学など4施設	AMED 医療研究開発革新基盤創生事業（2020～2024）
更年期障害	臨床研究	東京医科歯科大学	

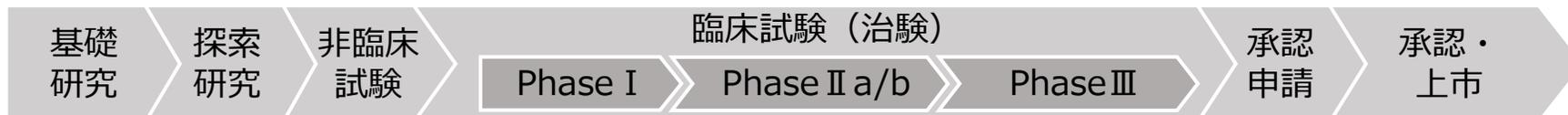
注：脱毛症は導出先のEirion社で開発中のため本リストには含めていません（第Ⅰ相準備中）



当社のビジネスモデル

当社は、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）を研究開発し、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）



当社事業領域



シーズ発掘・導入
最先端技術共同研究

医療データ
医師主導治験

契約
（オプション）

契約
（導出）

アップフロント*¹
マイルストーン*¹

ロイヤリティ*¹

大学・研究機関

シーズ導入
基礎研究
最先端科学技術

医療機関

医療課題
医師主導治験
医療データ

企業（製薬、医療機器、ヘルステック）

ライセンス契約
共同研究

事業開発

販売

社外ネットワーク

*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

- 重要な少子高齢化の医療課題を解決する
- 女性や小児の疾患の研究開発に注力する

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）
新型コロナウイルス肺傷害（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）
自閉スペクトラム症（医薬品）
FGF23関連性低リン血症性くる病（医薬品）
小児代謝性疾患（診断薬）
小児学習障害（AI）
乳がん（AI）

注：新型コロナウイルス肺傷害は、「老化関連疾患（呼吸器疾患）」に記載



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実施中 Ph3 2025年度終了予定					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 Ph2b 2022年12月終了予定 (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 2024年3月終了予定					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	
		FGF23関連 性低リン血症 性くる病	→ 臨床研究準備中					東京医科歯科大学	
	RS5441	脱毛症	→ Ph1準備中 2023年度開始予定					NWU	 eirion (ライセンス) Eirion Therapeutics, Inc.

*1: NWU=Northwestern University



開発パイプライン一覧 (2)

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		
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*1 導出先検討	東北大学 大阪総合医療C など13施設	
		PMS/PMDD	→				Ph2実施中 2023年12月終了予定	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
		更年期障害	→				臨床研究準備中	東京医科歯科大	

*1：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（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）。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。

注：

自閉スペクトラム症

第Ⅱ相試験の結果、主要評価項目では実薬高用量群が最も症状を改善したが、用量反応関係並びにプラセボ群と統計的な有意差は確認できなかった。本薬剤の有効性をより適切に評価するためには、対象患者の選定や、プラセボ効果を減少する治験計画の策定など、特に精神科領域疾患で検討すべき課題が明らかになり、実証試験は大規模な治験となるため、導出先企業を確保し検討することとした。

統合失調症

導出先による統合失調症後期第Ⅱ相試験が終了した。サブ解析では改善を認める項目もあるものの、主要評価項目である陽性・陰性症状評価尺度（PANSS）の陰性症状尺度の総スコアでは明確な差は認められず、導出先企業では今後の開発を行わない方針であり、パイプライン一覧から削除。



開発パイプライン一覧 (3)

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 (ディスポーザブル極細内視鏡)	→ 2022年度内 申請予定 <small>申請準備遅延のため2022年度中に承認申請の予定です。</small>			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	Baxter (ライセンス) Baxter Healthcare Corporation
AI	RSAI01	呼吸機能 検査診断	→ 開発研究実施中 2023年度終了予定			京都大学 NECソリューションイノベータ	CHEST チェスト株式会社 (ライセンス) チェスト株式会社 Orchestrating a brighter world NEC NECソリューションイノベータ
	RSAI02	慢性透析 システム支援	→ 開発研究実施中 2023年度終了予定			聖路加国際大 東北大学 東京大学 NEC など15施設	NIPRO (共同研究) ニプロ株式会社 Orchestrating a brighter world NEC 日本電気株式会社
	RSAI03	糖尿病 治療支援	→ 開発研究実施中 2023年度終了予定			東北大学 NEC	NIPRO (共同研究) ニプロ株式会社 Orchestrating a brighter world NEC 日本電気株式会社
	RSAI04	嚥下機能評価	→ 探索研究実施中 2023年度終了予定			東北大学 NEC	Orchestrating a brighter world NEC 日本電気株式会社
	RSAI06	小児発達障害	→ 探索研究実施中 2023年度終了予定			東北大学 NEC	Orchestrating a brighter world NEC 日本電気株式会社
	診断薬	-	フェニル ケトン尿症	→ 探索研究実施中 2023年度終了予定			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 (Ph3)	日本：1.4万人*2 米国：5.4万人*3	<ul style="list-style-type: none"> TKI併用でCML幹細胞を除去 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) 	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)	日本：4,811円 米国：26,700円 想定TAM*1 日本：115億円 米国：2,560億円	300日 (副作用が少ないため)	<ul style="list-style-type: none"> 同様な作用が期待される臨床ステージ品なし プロトコル上、第一世代・第二世代ともに併用可能 安価なイマチニブ(ジェネリック) + RS5614で根治が期待される <p>*2：2016年厚生労働省統計 *3：NIH「Cancer Stat Facts: Leukemia — Chronic Myeloid Leukemia (CML)」 *4：Journal of Clinical Oncology July 10, 2016 volume 34, number 20</p>
	COVID-19肺炎 (Ph2)	日本：42万人*5 米国：1,550万人*6	<ul style="list-style-type: none"> 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 重症化を阻止 新型コロナ肺炎だけでなく様々なARDSの重症化阻止 	日本：8.4万人 米国：310万人 20%が中等症以上に悪化すると仮定*7)	日本：1日薬価4,800円 x 14日間投与(アクテムラ 8 mg/kg 67,358円と同薬価) 米国：26,700円x14日間(アクテムラ米国価格 374,000円と同薬価*8) 想定TAM*1 日本：56億円 米国：1兆1500億円		<ul style="list-style-type: none"> 抗リウマチ薬(JAK阻害薬) IL6阻害薬 アクテムラ(大阪大学、中外製薬) <p>*5：厚生労働省(2022年3月31日時点) *6：United States coronavirus information and stats *7：新型コロナウイルス感染症対策の基本的対処方針(2022年1月19日) *8：代表的なpharmacy価格(\$1 = 120円)</p>
	メラノーマ (Ph2)	日本：0.4万人*9 米国：10万人*10	<ul style="list-style-type: none"> 経口投与可能な免疫チェックポイント阻害薬 がん免疫賦活作用 免疫チェックポイント抗体医薬との相乗効果 他がんへの適応拡大期待 	日本：0.32万人*11 米国：8万人*12 患者数の80%(米国でFirst-Lineとして80%が免疫チェックポイント抗体投与を受けている)	日本：4,811円 米国：26,700円 想定TAM*1 日本：13億円 米国：1,790億円	84日	<ul style="list-style-type: none"> 経口チェックポイント阻害薬開発品なし <p>*9：厚生労働省、平成26年患者調査 *10：皮膚悪性腫瘍ガイドライン2019 *11：がん研究振興財団 CANCER STATISTICS IN JAPAN 2014 *12：Cancer management and Research 2020 12:5633</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)
COVID-19の薬価がトシリズマブ類似薬効方式で算定されることを前提としてメラノーマ、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 導出先検討)	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"> 易刺激性、感覚過敏を改善 小児処方しやすい安全性の高さ*2 	日本: 23.8万人 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"> リスペリドン アリピプラゾール 安全性の観点・作用機序が異なるので併用も可能 <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"> 月経周期に伴う重篤な精神症状を改善 初めての承認薬を目指す 女性にも処方しやすい安全性の高さ*2 	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"> 抗うつ薬 ピル 漢方 <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>
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*8 台湾: 0.6万人*9 韓国: 0.7万人*10	<ul style="list-style-type: none"> 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 腹膜透析のシェア拡大に貢献 	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"> 開腹もしくはは硬性鏡による侵襲的観察 <p>*8: 一般社団法人 日本透析医学会 *9: 社団法人台湾腎友生活品質促進協會 *10: Nature (2019) 9:5905 https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z</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	事業性	競合品・開発品
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"> 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 	<ul style="list-style-type: none"> <前提> 本システム使用料・月5万円/(1施設)を課金(仮定) <想定TAM> 5万円/月 x 12か月 x 4,400施設=26億円 <div style="border: 1px solid gray; padding: 5px; display: inline-block;"> 想定TAM*1 日本：26億円 </div>	<ul style="list-style-type: none"> 同様な研究開発品なし
		日本糖尿病入院患者数：10万人 国内糖尿病入院施設数 7,100	<ul style="list-style-type: none"> 入院患者におけるインスリン投与量を専門医と同等の精度で予測する 早期血糖コントロールによる非専門医の負担軽減 	<ul style="list-style-type: none"> <前提> 本システム使用料・月5万円/(1施設)を課金(仮定) <想定TAM> 5万円/月 x 12か月 x 7,100施設=42億円 <div style="border: 1px solid gray; padding: 5px; display: inline-block;"> 想定TAM*1 日本：42億円 </div>	<ul style="list-style-type: none"> 同様な研究開発品なし

*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

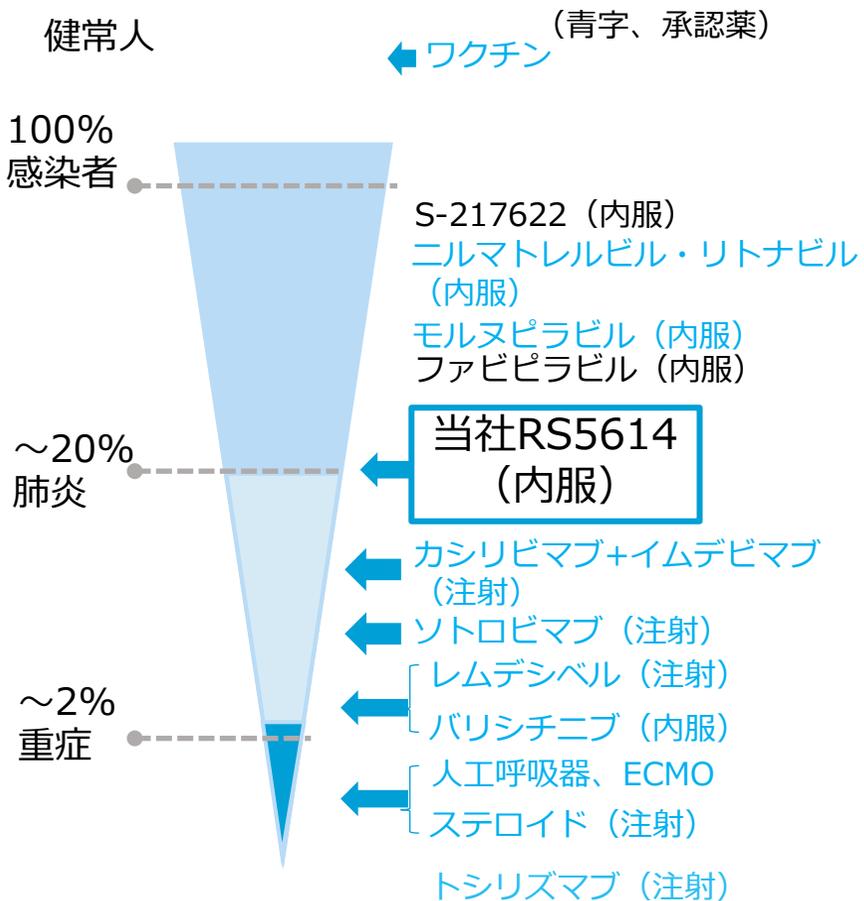


Renaissance

COVID-19肺炎の重症化治療薬開発を開始（RS5614：PAI-1阻害薬）

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



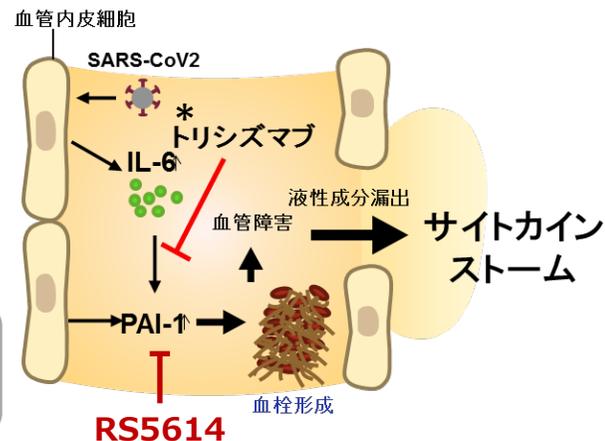
当社はCOVID-19肺炎の重症化の予防・治療薬を開発

- 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
 - 米国、トルコでは前期第Ⅱ相試験終了（安全性確認）
- 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



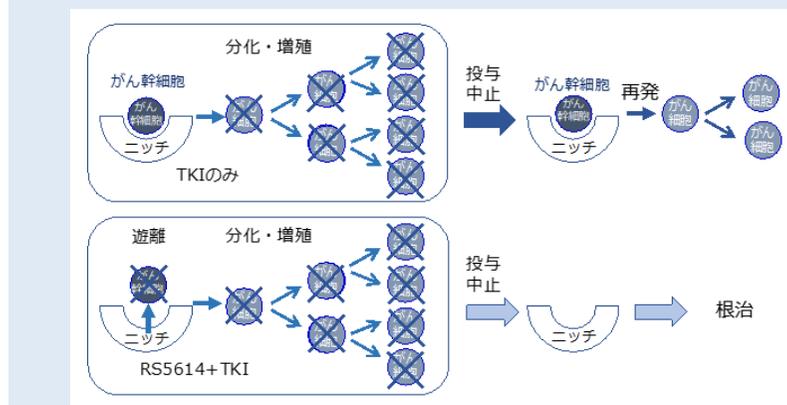
*1: 厚生労働省「新型コロナウイルス感染症診療の手引き第5版」
*2: 青字は承認薬



「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 방지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

- 厚生労働省先駆相談、PMDA戦略相談 (2021年11月12月)
- AMED革新的がん医療実用化研究事業採択 (2022年3月)
- 第Ⅲ相医師主導治験の実施 (2022年上半期開始)
- 試験終了後速やかな薬事承認を目指す

第Ⅲ相試験デザイン

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

*1: がんの原因遺伝子が検出されない状態

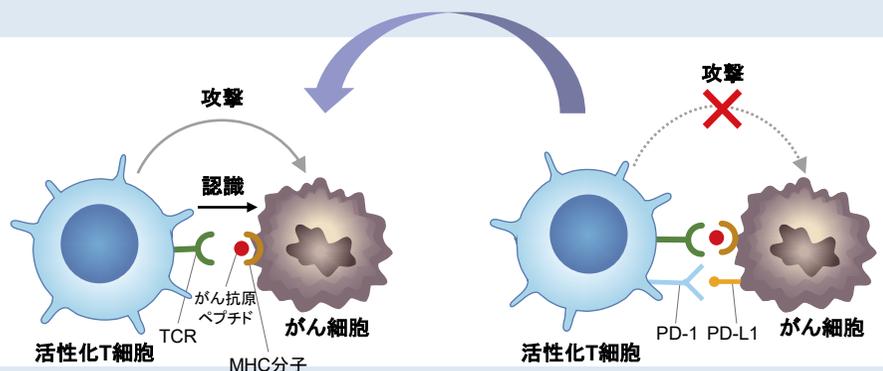


PAI-1害薬RS5614が、免疫チェックポイント分子を制御し免疫系を活性化する作用に基づき、メラノーマ治療薬としての有効性と安全性を確認するための第Ⅱ相試験を実施しています

当薬剤のコンセプト

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

RS5614による
PD-L1発現阻害



特徴

- 同様な作用が期待される臨床ステージ品なし

第Ⅱ相試験

- AMED 橋渡し研究プログラムシーズC採択（2021年5月）
- 第Ⅱ相試験開始（2021年7月）

第Ⅱ相試験デザイン

- ✓ 対象：根治切除不能メラノーマ
- ✓ デザイン：非盲検（6施設共同）
- ✓ 被験者数：40例
- ✓ 主要評価項目：RECIST評価*

*RECIST:治療前から治療経過中の腫瘍の大きさの変化を評価

困難な臨床試験を医師主導治験で実現

- 悪性黒色腫のような希少がんの国内での臨床開発は極めて困難
- 皮膚がんに対する多施設共同研究のためのNPO法人 Japan Skin Cancer Network (JSCaN) に属する医療機関が参加することで治験を実現

東北大学、筑波大学、都立駒込病院

名古屋市立大学、近畿大学、鹿児島医療センター



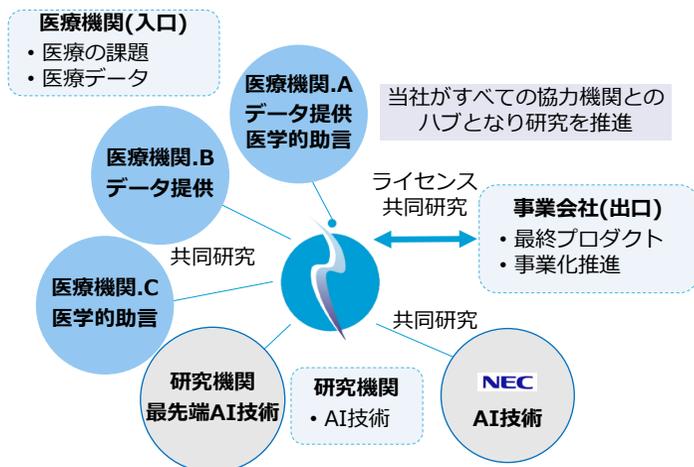
医師主導治験のネットワークと医療現場での研究開発ノウハウを人工知能（AI）の分野に生かす

AIの医療応用をエコシステムで加速

「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/NES	ニプロ
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)

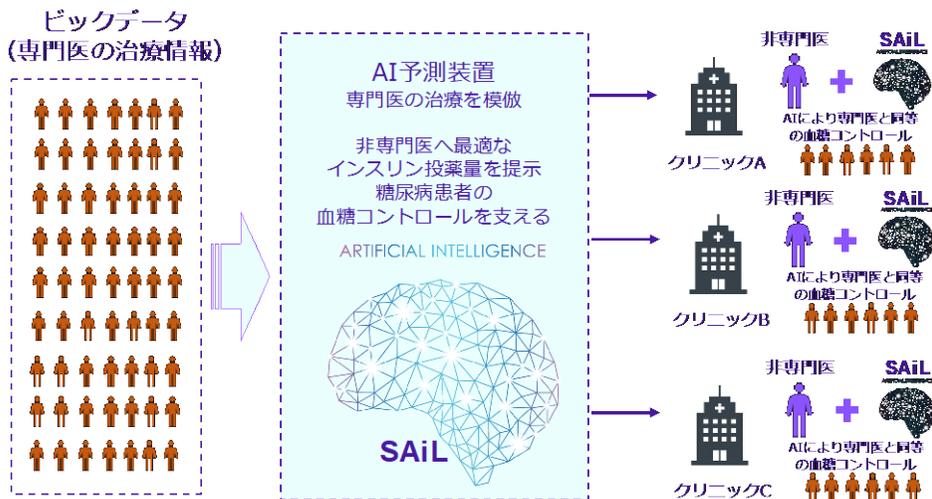
今後数年で10プロジェクト程度に拡大を目指す



糖尿病専門医は医師全体の2%もおらず、糖尿病患者の多くは非専門医を主治医としており、インスリン治療の妨げとなっている

AIのコンセプト

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



特徴

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

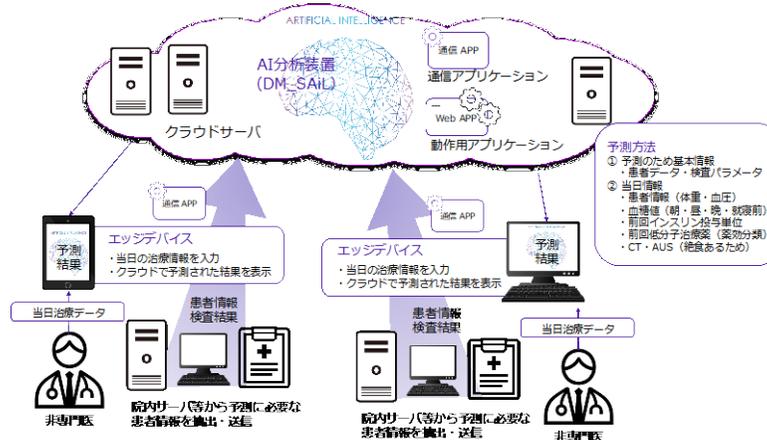
探索研究 (完了)

- 東北大学病院糖尿病代謝内科の入院患者データ (1,000例) を用いて、新しい糖尿病AI「DM-SaIL」を取得
- 専門医のインスリン投与量から2単位の誤差で投与量を予測可能

臨床試験に向けた取り組み (準備中)

- 医療データの「質」と「量」の改善、予測精度向上
- AMED医工連携イノベーション推進事業（開発・事業化事業）採択

インスリン治療支援システムのイメージ (クラウド上で運用)



3. 当社の強み・特徴



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
臍帯血移植 Ph2 : | 東海大学 |
| 7. 血液悪性疾患に対する
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
7の大学等医療機関 |

【実施中 6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） : | メディニエツト大学
（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
6施設 |
| 21. CML Ph3 : | 東北大学・秋田大学・東海大学
等12施設 |

*1: 16: 2023年12月終了予定、19: 2022年12月終了予定
20: 2021年7月開始、21: 2022年上半年開始



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

(2022年3月)

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		ライセンス		
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				
RSAI01 呼吸機能診断検査		ライセンス		
RSAI02 透析システム支援				共同研究 → ライセンス交渉
RSAI03 糖尿病治療支援				共同研究 → ライセンス交渉



Renaissance

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

基礎研究

最適化・前臨床

早期開発

後期開発

販売



Renaissance

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

多様なモダリティ

医薬品、医療機器だけではなくAIを活用した医療ソリューションを開発

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

AMED等公的資金を活用することにより自社負担を最小化

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

開発失敗

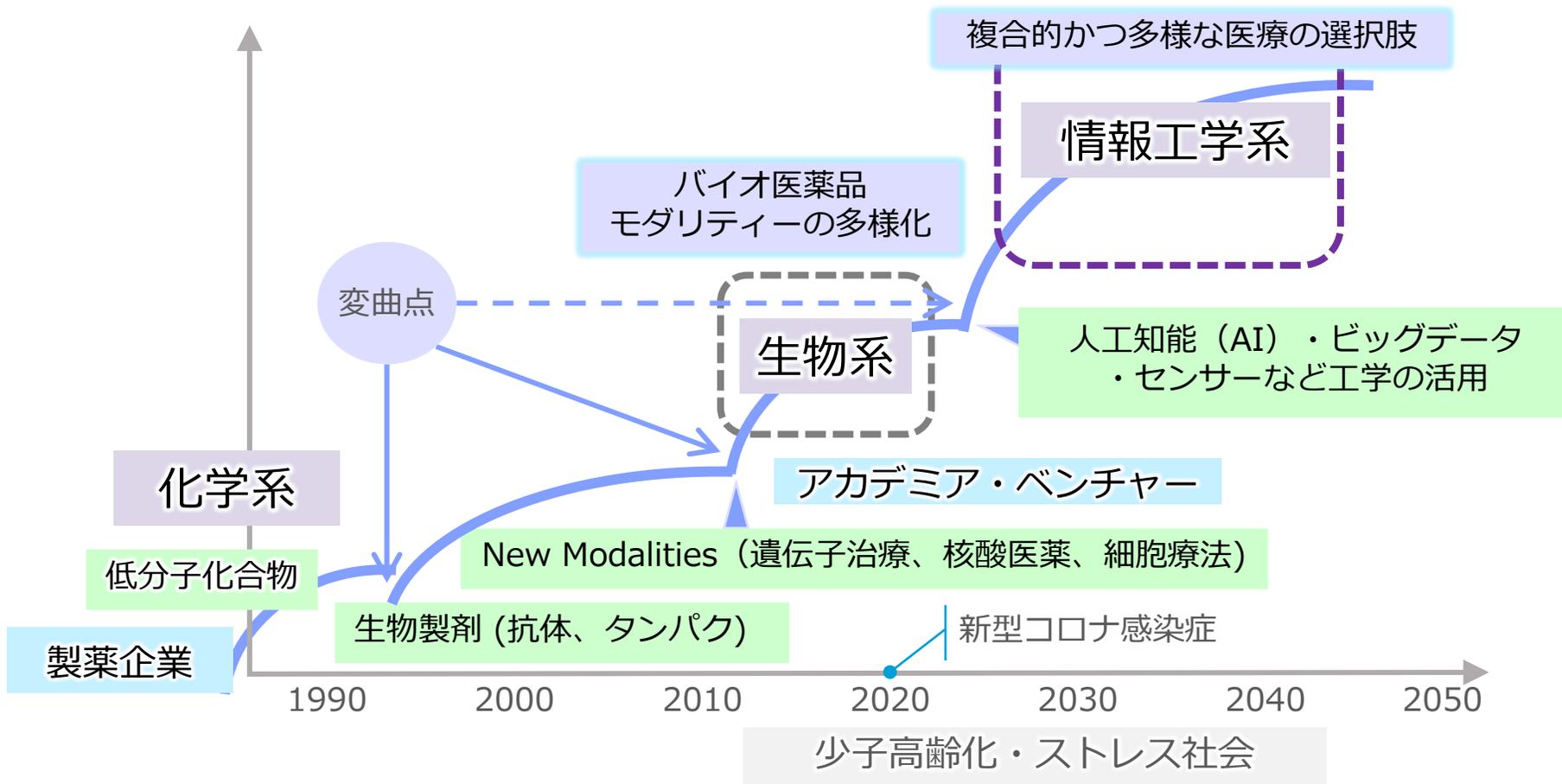
バイオベンチャーA

4. 成長戦略



医療の変遷とイノベーション

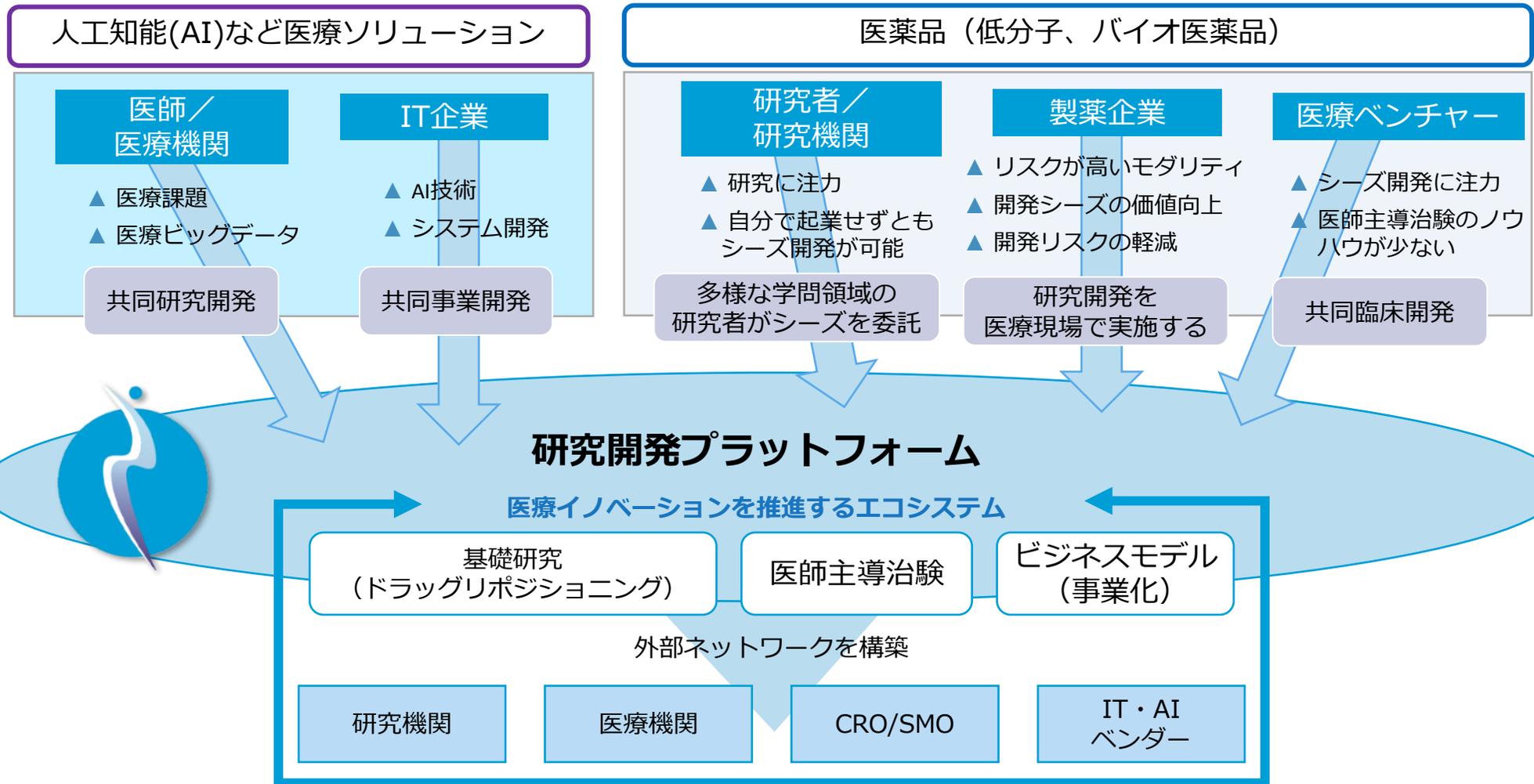
- 多様なモダリティー：低分子からバイオ医薬品、ビッグデータや人工知能（AI）の活用
- ブロックバスター（多数）から個別化医療（個）へ
- 基礎研究から実用化までの期間の短縮（イノベーションの加速）
- ベンチャーの果たす役割の拡大





ネットワークの拡大による医療イノベーションの推進

多様なパイプラインを効率的に稼働させるプラットフォームの形成と研究開発エコシステムの実現
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）



2022年度

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	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	Ph3	承認申請	上市	Ph3が必要なケース
		欧州 (トルコ)			後期第Ⅱ相医師主導治験実施	Ph2	Ph2b後は承認申請 or Ph3	承認申請	上市	Ph3をスキップするケース	
		米国			第Ⅱ相医師主導治験実施	Ph2	今後の方針検討中	承認申請	上市		
	間質性肺炎				非臨床試験	Ph2					
	FGF23関連性低リン血症性くる病					臨床研究	Ph2				
RS5441	皮膚疾患	ライセンス契約				Ph1	Ph2				

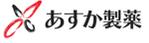


Daiichi-Sankyo
(オプション契約締結済)



(ライセンス契約締結済)

2022年度

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	第Ⅱ相試験データ解析 導出先検討				
	PMS/PMDD		Ph2	ライセンス契約	Ph3	承認申請	 あすか製薬 <small>(オプション契約締結済)</small>
	更年期障害		臨床研究		Ph2		
RS9001	極細内視鏡	ライセンス契約	承認申請	上市	保険償還	 Baxter <small>(ライセンス契約締結済)</small>	

提携パートナーによる承認申請

注：統合失調症は導出先企業を開発を中止しましたのでパイプラインから削除しました

2022年度

パイプライン		今後の開発計画			契約
AI	呼吸機能検査 診断	ライセンス 患モデル ス契約	POCモデル		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	臨床試験	ライセンス ス契約 NIPRO (共同研究契約締結済)
	糖尿病治療支 援	探索モデル	事業化モデル	臨床試験	ライセンス ス契約 NIPRO (共同研究契約締結済)
	嚥下障害	探索モデル	事業化モデル	オプション ン契約	ライセンス 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 ン契約	ライセンス ス契約
診断薬	フェニルケト ン尿症	2021/05 出願	臨床試験	ライセンス ス契約	

(単位：百万円)

	事業収益	営業利益	経常利益	当期純利益
2023年3月期 (通期予想)	90	△542	△542	△542
2022年3月期 (通期実績)	139	△210	△241	△254

2023年3月期の通期業績見通しについて

(事業収益)

AI医療ソリューションに係るマイルストーン収入、及びAMED採択プロジェクトに係る受託研究収入（RS5614CML、RS5614COVID19及びRSAI03糖尿病）などを計上する見込み

(事業費用)

2023年3月期のパイプライン開発方針として、医薬品の上市に向けた国内外の医師主導治験の推進や、安定的収益源の確保とブランドの早期確立に向けたAIプロジェクトのさらなる推進を目指しており、これらのパイプライン開発を着実に進めるべく、AMED採択プロジェクトの助成金に加えて上場により調達した資金の活用も想定しており、研究開発費は対前年度比で大幅に増額する見込み



資金調達に関する説明

2021年9月の上場により、総額1,640百万円の資金を調達した。

2022年3月期は、2021年12月に、CiCLE事業用担保資金の全額に当たる380百万円の借入金返済の一部に充当した。

また、2023年3月期以降については、CML第Ⅲ相試験費用をはじめとした当社パイプライン開発の促進のために、計画的に充当していく予定であるが、公的研究資金が獲得できた場合は、調達額の充当額は軽減できる。

(単位：百万円)

用途	内容	調達額	充当額	23年3期	24年3期	25年3期
借入金返済	CiCLE事業用担保資金の借入金返済	220	220			
研究開発費	CML第Ⅲ相試験	450	0	▶		
	基礎研究投資	20	0	▶		
	AI医療ソリューション	150	0	▶		
	グローバル展開	200	0	▶		
	新規モダリティ	600	0		▶	
合計		1,640	220			

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
 - 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
 - 次年度10プロジェクト程度まで拡大



事業遂行上の重要なリスクと対応方針

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

	リスクの概要	顕在化の可能性/時期	顕在化した場合の影響度	対応策
特定人物への依存について	<ul style="list-style-type: none"> ■ 当社設立の発端は、宮田会長（東北大学教授）の研究成果の事業化を目的とするもので、当社の研究開発活動において同氏への依存度は極めて高い ■ 何らかの理由により同氏の会社経営の執行が困難となった場合等には、当社の事業等に影響を及ぼす可能性がある 	中/中長期	大	優秀な人材の獲得、研究開発人員の育成等により、宮田会長への依存度を軽減するよう努めたいと思います。
収益の不確実性について	<ul style="list-style-type: none"> ■ 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 ■ 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 	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ッ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"> ■ 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 	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"> ■ 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 	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。