



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

2025年5月26日

- 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、将来の見通しが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（5月）を目途に開示を行う予定です。

1. 会社概要	・・・	4
2. 研究開発	・・・	15
3. 今後の成長戦略	・・・	52
4. 数値情報	・・・	55
5. リスク情報	・・・	62
Appendix	・・・	64

1. 会社概要

当社は、医療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ています

会 社 名	株式会社レナサイエンス
所 在 地	宮城県
設 立	2000年2月15日
取 引 市 場	東証グロース市場（証券コード：4889）
代 表	古田 圭佑
役 職 員 数	11名（2025年3月末時点）
事 業 内 容	医薬品等・医療機器・人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器等の開発・販売等
研 究 拠 点	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） 広島大学-レナサイエンスオープンイノベーションラボ（HiREx）



沿革（上場前後を中心とした主な動き）

2000年	2月	大学発の創薬ベンチャーとして株式会社レナサイエンスを設立
2016年	10月	Eirion Therapeutics, Inc.（米国）と皮膚科用薬としてのライセンス契約を締結
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）に採択（PMS/PMDD）
2020年	7月	チェスト株式会社と呼吸器AIの共同開発及び事業化に関する契約を締結
	12月	第一三共株式会社と新型コロナウイルス感染症等の肺傷害に関するオプション契約を締結
2021年	5月	ニプロ株式会社と透析AIの開発に関する共同研究契約を締結
	5月	AMED橋渡し研究プログラムシーズCに採択（悪性黒色腫）
	7月	悪性黒色腫の第Ⅱ相試験を開始
	9月	東京証券取引所マザーズ（現グロース）市場に上場
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 TREx = Tohoku University x Renaissance
	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）
	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（糖尿病治療支援プログラム医療機器）
	8月	慢性骨髄性白血病の第Ⅲ相試験における投与開始
	9月	株式会社ハイレックスコーポレーション及びその子会社である株式会社ハイレックスメディカルと共同研究契約を締結
	11月	NECソリューションイノベータ株式会社と基本合意書を締結
	12月	ディスプレイザブル極細内視鏡の薬事承認

2023年	2月	AMED医療機器開発推進研究事業に採択（維持血液透析医療支援プログラム医療機器）
	3月	AMED難治性疾患実用化研究事業に採択（全身性強皮症）
	4月	COVID-19に伴う肺傷害に対するPAI-1阻害薬RS5614のプラセボ対照二重盲検第Ⅱ相試験結果報告
	4月	広島大学レナサイエンスオープンイノベーションラボ（HiREx）開設 HiREx = Hiroshima University x Renaissance
	6月	NECと共同研究契約（基本合意書）を締結
	8月	悪性黒色腫の第Ⅱ相試験におけるPOC取得
	9月	Nature誌への当社PAI-1阻害薬に関する記事掲載
	9月	非小細胞肺がんの第Ⅱ相試験開始
	10月	全身性強皮症に伴う間質性疾患の第Ⅱ相試験開始
	10月	皮膚血管肉腫の第Ⅱ相試験開始
	12月	東レ・メディカル株式会社と共同開発契約締結
2024年	3月	ニプロ株式会社と共同開発契約締結
	7月	Eirion社における男性型脱毛症（加齢性脱毛症）の第Ⅰ相臨床試験開始
	8月	糖尿病治療支援人工知能の臨床性能試験を開始
	9月	悪性黒色腫治療薬の希少疾患用医薬品指定
	10月	維持血液透析支援人工知能の臨床性能試験を開始
	10月	東京中央区日本橋より宮城県仙台市へ本社移転
	11月	Taipei Medical University（TMU）-Biotech 社（台湾）と共同開発契約を締結
2025年	1月	米国ノースウエスタン大学Potocsnak Longevity Institute（長寿研究所）のTREx内開設
	2月	悪性黒色腫の第Ⅲ相試験を開始
	3月	糖尿病患者のインスリン投与量を予測する人工知能（AI）の臨床性能試験におけるPOC取得
	5月	世界的長寿研究コンペティションXPRIZE HealthspanのTOP40入賞

高齢化（老化関連）及び少子化（女性や小児）の医療課題に注力

- 加齢疾患（がん・呼吸器疾患・循環器疾患・糖尿病）
- 抗加齢（アンチエイジング）
- 女性・小児の疾患

医薬品

慢性骨髄性白血病（がん）
悪性黒色腫（がん）
非小細胞肺癌（がん）
皮膚血管肉腫（がん）

新型コロナウイルス肺傷害（呼吸器疾患）
全身性強皮症肺傷害（呼吸器疾患）

抗加齢（アンチエイジング）

医療機器

極細内視鏡

プログラム医療機器

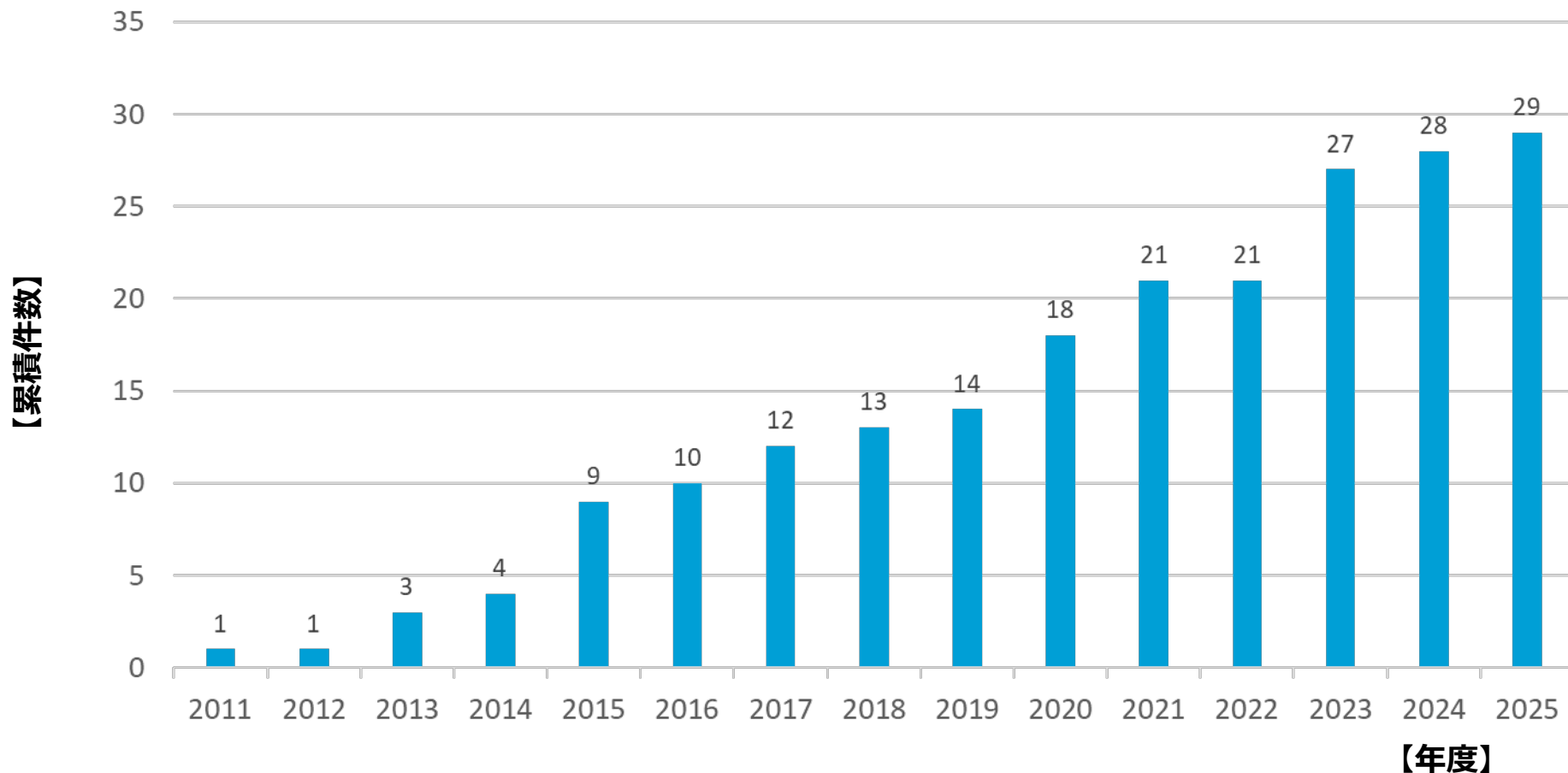
糖尿病インスリン治療支援
呼吸機能検査診断
維持血液透析医療支援
嚥下機能低下診断
乳がん病理診断

今期の臨床試験数は 9 本を予定

期間		実績		予定
		2024年3月期	2025年3月期	2026年3月期
臨床段階 パイプライン数		9 本	10本	9 本
内 訳	第Ⅲ相試験	慢性骨髄性白血病	- 慢性骨髄性白血病 - 悪性黒色腫	- 慢性骨髄性白血病 - 悪性黒色腫
	第Ⅱ相試験	- 悪性黒色腫 - 月経前症候群/月経前不快気分障害 - 皮膚血管肉腫 - 非小細胞肺癌 - 全身性強皮症	- 月経前症候群/月経前不快気分障害 - 皮膚血管肉腫 - 非小細胞肺癌 - 全身性強皮症	- 皮膚血管肉腫 - 非小細胞肺癌 - 全身性強皮症 - 脱毛症（Eirion社）
	第Ⅰ相試験		脱毛症（Eirion社）	
	その他 臨床試験	- 更年期障害 - 糖尿病治療支援SaMD - 維持血液透析医療支援SaMD	- 更年期障害 - 糖尿病治療支援SaMD - 維持血液透析医療支援SaMD	- 更年期障害 - 維持血液透析医療支援SaMD - 抗加齢（XPRIZE Healthspan）

医師主導による治験等の実績：29件
(実施済み21件、実施中8件)

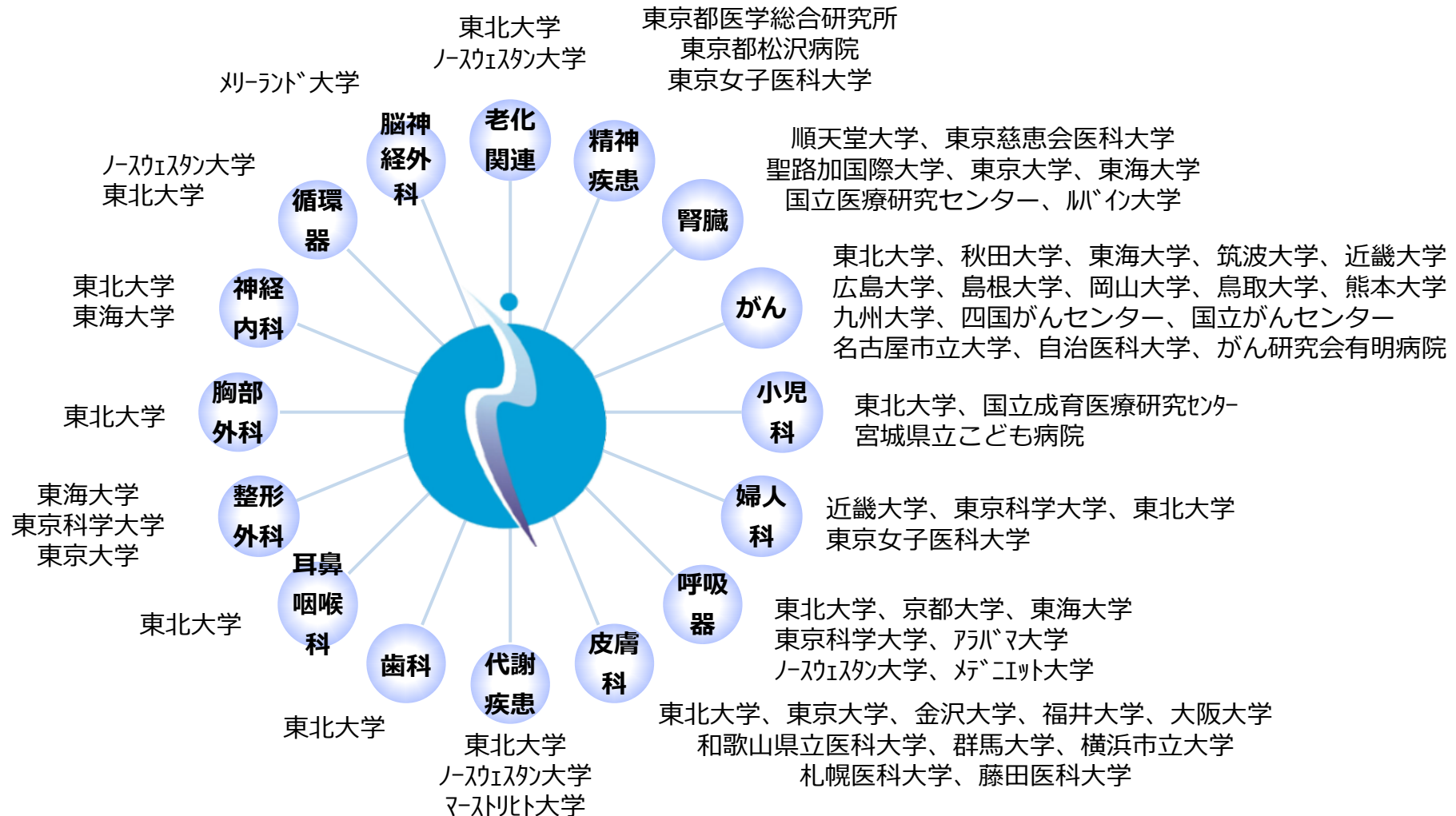
医師主導治験等の累積試験件数



(注)「医師主導治験等の累積試験件数」：2023年から「臨床研究数」「臨床性能試験数」を含む

当社の強み：多くの診療科に亘る医療課題に対応

これまでの医師主導治験の実績に基づき、様々な適応症に対する
多数の医療機関・診療科とのネットワークを構築



(ネットワーク機関の一部を例示)

当社プロジェクトに関わる
公的資金獲得総額
(当社及び共同研究先金額総計)

3.9億円

年間研究開発費（自己負担）
0.7億円

(2024年4月～2025年3月)

医師主導による治験等
29件

内訳	第Ⅲ相	2件
	第Ⅱ相	14件
	第Ⅰ相	8件
	Pivotal(内視鏡)	1件
	臨床研究	2件
	臨床性能試験	2件

(2025年3月末時点)

臨床段階パイプライン数
9本

内訳	第Ⅲ相	2本
	第Ⅱ相	4本
	第Ⅰ相	0本
	臨床研究	2件
	臨床性能試験	1件

(2025年3月末時点)

契約締結パイプライン数
6本

内訳	ライセンス契約	3本
	オプション契約等	3件

(2025年3月末時点)

(注)「臨床段階パイプライン数」：2025年3月時点で実施中のものの他、今後実施予定の「見込み数」も含む



大学の特色や強みを生かした研究開発拠点の開設

東北大学、広島大学にオープンイノベーション拠点を開設 大学・大学病院のシーズを医師主導治験で確認する

TREx

- ❑ 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)
Tohoku University x Renascience
- ❑ 2022年1月開設
- ❑ 包括連携協定書を締結し、共同で数々の医師主導治験を推進
 - 慢性骨髄性白血病 第Ⅲ相試験
 - 悪性黒色腫 第Ⅲ相試験
 - 全身性強皮症 第Ⅱ相試験
 - プログラム医療機器 臨床性能試験2件
 - 長寿・抗加臨床試験
- ❑ ノースウェスタン大学Longevity Institute (長寿研究所) のTREx内開設



HiREx

- ❑ 広島大学-レナサイエンスオープンイノベーションラボ (HiREx)
Hiroshima University x Renascience
- ❑ 2023年4月開設
- ❑ 包括連携協定書を締結し、共同で数々の医師主導治験を推進
 - 非小細胞肺がん 第Ⅱ相試験
 - 皮膚血管肉腫 第Ⅱ相試験
 - 悪性黒色腫 第Ⅲ相試験
 - プログラム医療機器 臨床性能試験2件
 - 長寿・抗加臨床試験



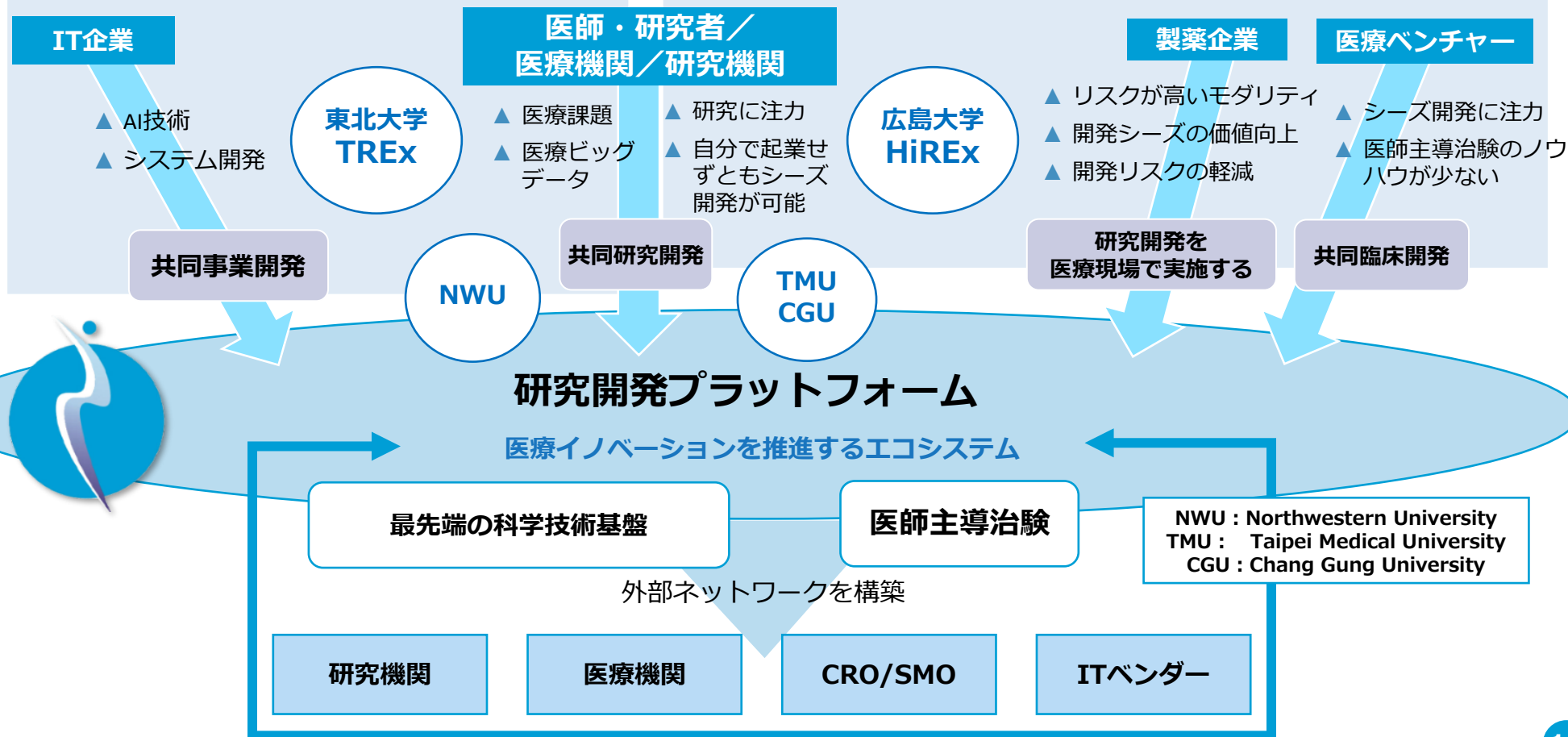


オープンイノベーションに基づくエコシステムの形成

- 多様なパイプラインを効率的に稼働させるためのプラットフォームの形成と研究開発エコシステムを実現
- TREx、HiRExなどオープンイノベーションラボによりアカデミアとの共創を拡大

人工知能を活用したプログラム医療機器

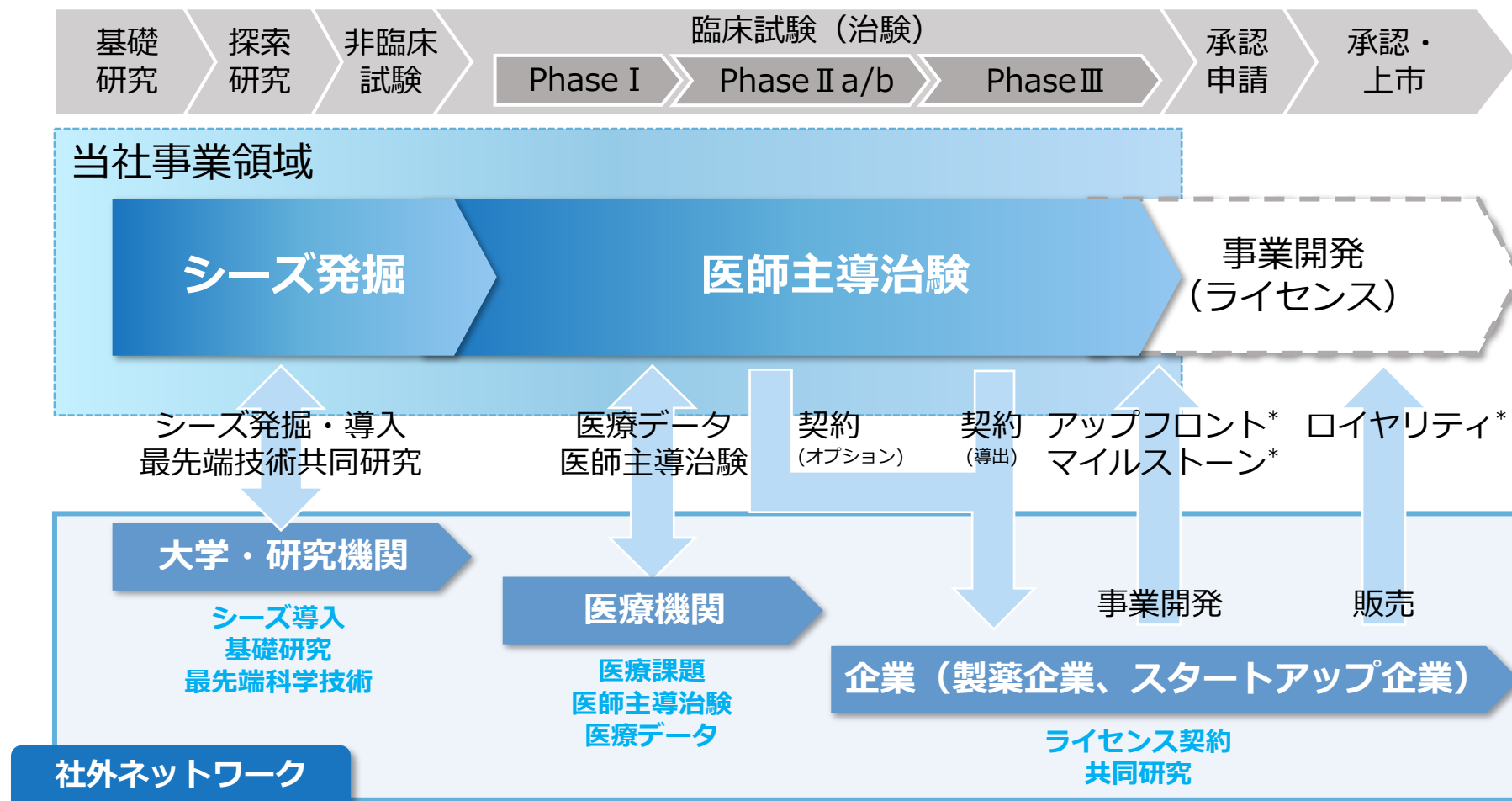
医薬品



基礎研究から医師主導治験まで一貫通貫での開発

検証試験（第Ⅲ相試験、臨床性能試験）まで自社で実施することで
実用化の蓋然性と収益向上を期待

医薬品開発の場合（医療機器・プログラム医療機器の場合は開発プロセスが異なる）



* : 「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

2. 研究開発

2.1 パイプライン



Renascience

パイプライン進捗 (1)

低分子医薬品 PAI-1阻害薬

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 PAI-1 阻害薬	RS5614	慢性骨髄性 白血病(CML)				Ph2b POC取得		Ph3 2026年3月期終了予定	東北大学 東海大学 秋田大学 など12施設	
		悪性黒色腫				Ph2 POC取得		Ph3 2030年3月期終了予定	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、 熊本大学 など18施設	
		皮膚血管肉腫							東北大学、自治医科大 学、九州大学、名古屋 市立大学、国立がん研 究センター中央病院、 愛媛大学	
		非小細胞性 肺がん							広島大学、島根大学、 岡山大学、鳥取大学、 四国がんセンター、 広島市民病院	
		新型コロナウイルス ルス肺傷害						(日本) Ph2b 終了 (米・トルコ) Ph2終了	東北大学 など20施設 Northwestern Univ. Medeniyet Univ.	
		全身性強皮症						Ph2 患者登録完了	国立大学法人東北大学、 東京大学、大阪大学な ど合計12施設	
	RS5441	脱毛症						Ph 2 準備中	Northwestern Univ.	eirion (ライセンス)

(注) 「脱毛症」はEirion社に導出済み、現在 第Ⅱ相試験の準備を進めている



パイプライン進捗（2）

医薬品 その他

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	更年期障害	→				臨床研究		東京科学大学など	

医療機器、診断薬

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12月 薬事承認済	東北大学 順天堂大学 東京慈恵医科大学 HI-LEX^{medical} (ライセンス)
診断薬	-	フェニル ケトン尿症	→		探索研究実施中 2027年3月期終了予定	東北大学	

（注）「フェニルケトン尿症」については、開発パートナー企業を模索中のため時期を変更



Renascience

パイプライン進捗 (3)

人工知能 (AI) ソリューション: プログラム医療機器 (SaMD)

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		
SaMD	RSAI01	呼吸機能検査診断				京都大学 NES	チェスト株式会社 (ライセンス)
	RSAI02	維持血液透析医療支援		開発研究実施中 臨床性能試験 2026年3月期終了予定		東北大学、聖路加国際大学、東京大学、国際医療研究センター、民間透析医療機関 NEC、NES	NIPRO (共同開発)
	RSAI03	糖尿病治療支援			臨床性能試験完了 POC取得	東北大学 など4医療機関 NEC、NES	
	RSAI04	嚥下機能低下診断		開発研究実施中 2027年3月期終了予定		東北大学 NEC	
	-	乳がん病理診断				東北大学 NES	
	-	心臓植込み型デバイス患者における不整脈・心不全発症予測				東北大学 NEC	
	-	人工心臓患者における血栓発生予測				東北大学	HI-LEX medical (共同研究)

(注) 「嚥下機能低下診断」については、精度向上を企図した事業開発のため時期を2027年3月期に変更

(注1) NECグループはAI研究開発の共同研究パートナー
(注2) NES: NECソリューションイノベータ株式会社

- 組織プラスミノゲン活性化因子（t-PA）を阻害するプラスミノゲンアクチベーターインヒビター1（PAI-1）は血栓溶解に関与
- 当社の**PAI-1阻害剤を用いた最近の研究で**、PAI-1のがんや老化における予想外の作用を確認



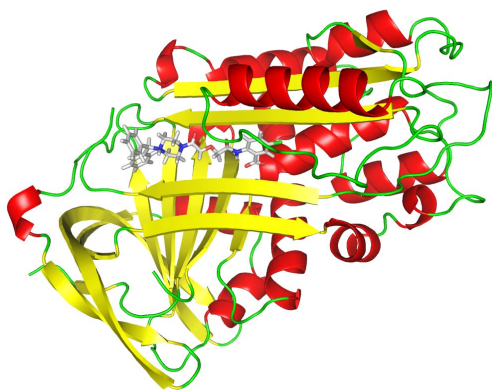
- 免疫チェックポイント分子阻害作用
- 幹細胞活性作用
- 長寿・抗加齢作用



がん細胞や老化細胞を除去する医薬品（RS5614）

- PAI-1阻害薬RS5614は、**コンピューター工学を用いた創薬**でヒトのPAI-1結晶構造の活性を阻害するヒット化合物が見出され、**1,400以上の新規誘導体化合物**の中から選択された臨床開発候補品
- 探索からGLP非臨床試験、GMP合成・製剤、医師主導治験まで一貫して開発**

ヒトPAI-1 X線構造



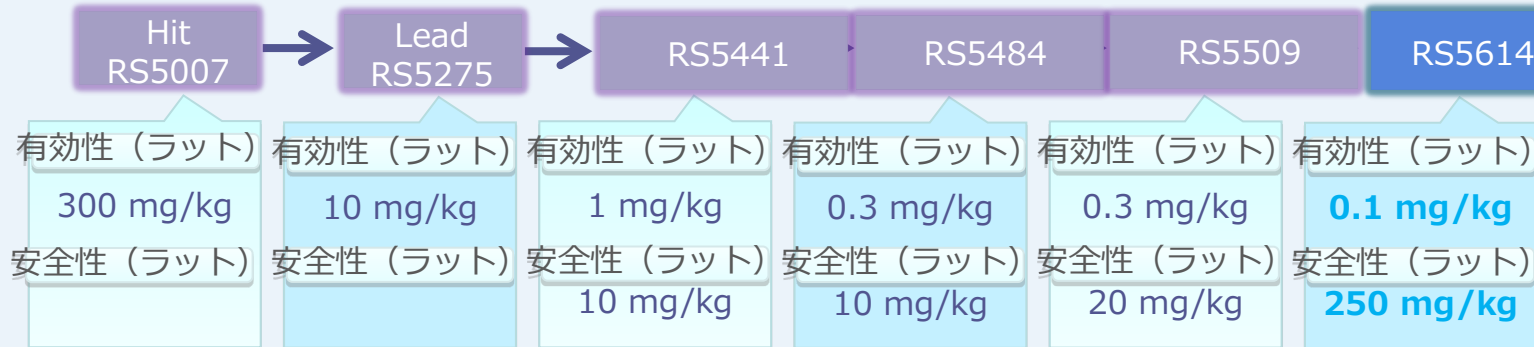
約10年の開発期間の研究開発で
臨床開発候補品を得る

コンピューター工学を用いた創薬でヒット化合物探索

1,400以上の新規誘導体合成と化合物評価

臨床開発候補品

医師主導治験

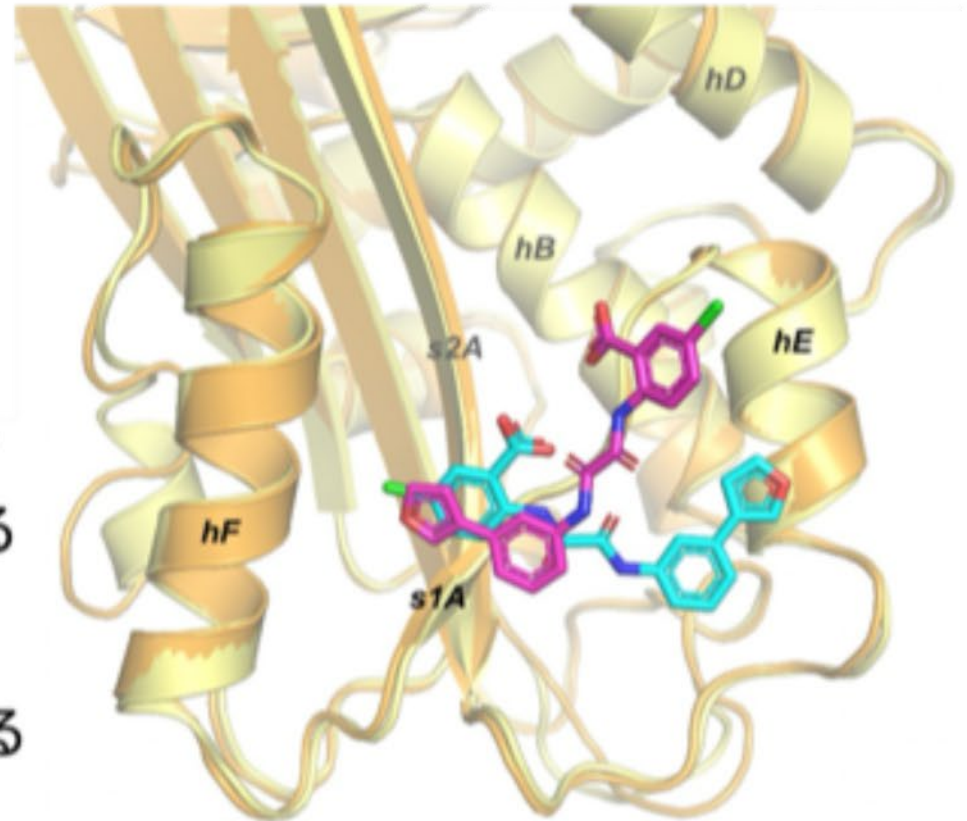


RS5614

↓ 競合阻害

Vitronectin + PAI-1

- PAI-1は単独では血中で半減期が数分と短く、ビトロネクチンと結合することで安定化する
- PAI-1阻害薬はビトロネクチンの結合部位に挿入され、結合を阻害するため、PAI-1分子は分解される



Int J Mol Sci. 2021.

2.1.1 がん治療薬

**当社PAI-1阻害薬（RS5614）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
PAI-1阻害薬は免疫チェックポイント阻害作用を有する**

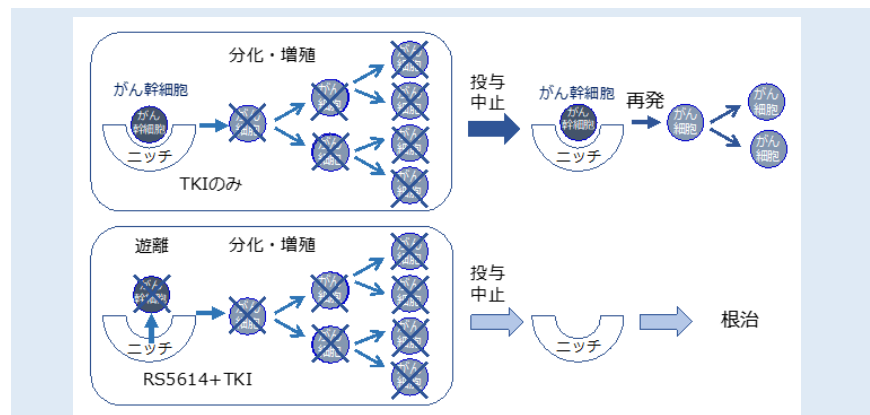
がん種	実施医療機関	補足	2025年3月期
慢性骨髄性白血病 (CML)	東北大学、東海大学、秋田大学など12医療機関	☐ 後期第Ⅱ相試験でProof-of-Concept(POC)取得 ☐ がん幹細胞への作用	☐ 第Ⅲ相試験
悪性黒色腫 (メラノーマ)	東北大学、筑波大学、がん研究会有明病院、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学、熊本大学など18医療機関	☐ 第Ⅱ相試験でPOC取得 ☐ 免疫チェックポイント阻害作用	☐ 第Ⅲ相試験
非小細胞性肺がん	広島大学、島根大学、岡山大学、鳥取大学、四国がんセンター、広島市民病院	☐ 免疫チェックポイント阻害作用	☐ 第Ⅱ相試験
皮膚血管肉腫	東北大学、九州大学、自治医科大学、がん研究会有明病院、名古屋市立大学、国立がんセンター	☐ 免疫チェックポイント阻害作用	☐ 第Ⅱ相試験

後期第Ⅱ相試験でPOC取得

「がん幹細胞」を標的とした治療薬、類似薬は無い

当薬剤のコンセプト

- 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(無治療寛解、TFR)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*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)

* がんの原因遺伝子が検出されない状態

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

- AMED革新的がん医療実用化研究事業採択(2022年3月)(代表機関: 東北大学、レナサイエンス: 分担機関)
- 第Ⅲ相医師主導治験を2022年8月開始
- 2023年12月解析に必要な症例数(54例)を超える57例登録
- 2年間の経過観察後、速やかな薬事承認を目指す

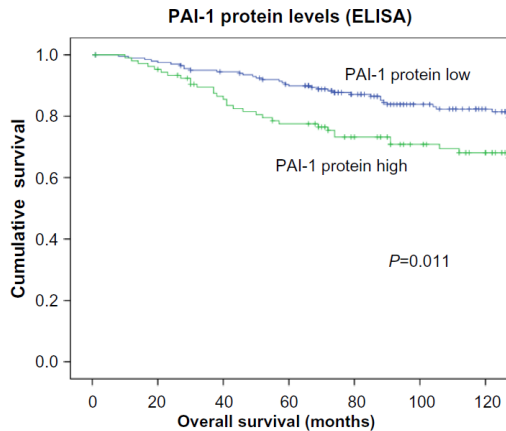
第Ⅲ相試験デザイン

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

PAI-1とがん（固形がん）

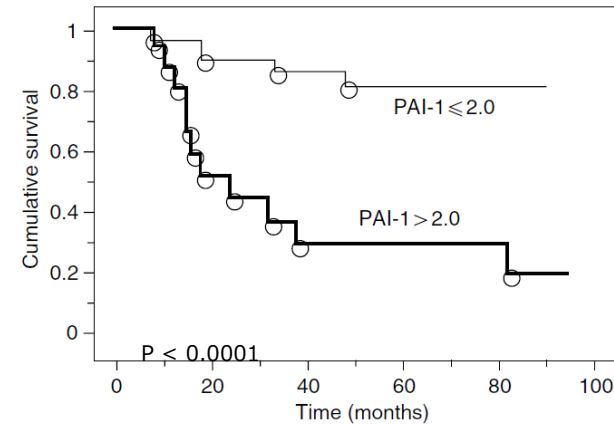
PAI-1が高い固形がんは悪性度が高く、予後不良

乳がん



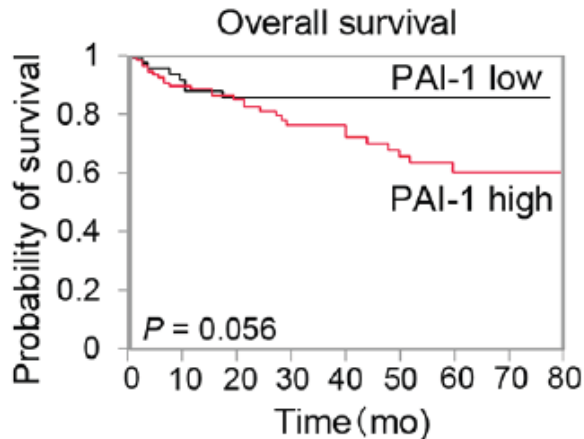
(*Oncotargets Therapy* 2014)

大腸がん



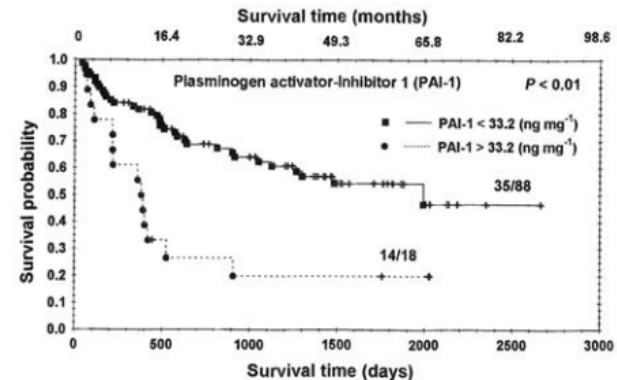
(*Br J Cancer* 2005)

卵巣がん



(*Oncotarget* 2017)

非小細胞肺がん



(*Anticancer Res* 2004)

RS5614は免疫チェックポイント分子を制御し免疫系を活性化 悪性黒色腫2次治療における安全性の高い治療法

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分子阻害薬
 - ✓ 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
- 悪性黒色腫、大腸がん及び肺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

既存治療における課題

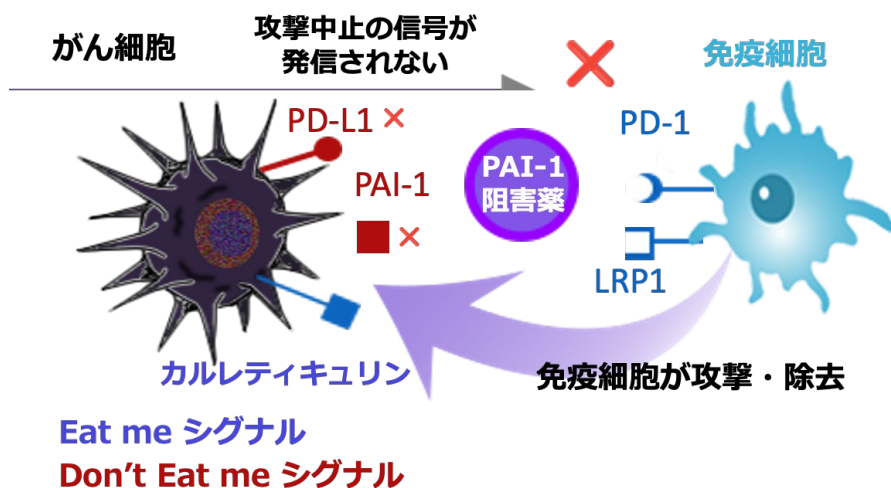
悪性黒色腫 2 次治療としての、ニボルマブ + イピリムマブ併用療法

有効性 (奏効率)

- 日本 **13.5%**
- 海外 21.0%

安全性 (重篤な有害事象)

- 免疫関連有害事象発生率**50%超**
(ニボルマブ単独の4倍以上)
- 未治療の進行・再発非小細胞肺がんにおいて、治療との因果関係が否定できない死亡が約7.4% (148例中11例) (多施設共同第Ⅲ相試験、JCOG2007試験)



ニボルマブ＋RS5614による2次治療は既存薬よりも有効性と安全性において優れる（POC取得）

第Ⅱ相試験（医師主導治験）

悪性黒色腫

- ✓ デザイン：非盲検試験
- ✓ 対象：根治切除不能かつニボルマブ不応答2次治療患者
- ✓ 実施機関：東北大学、筑波大学、がん研究会有明病院、都立駒込病院、近畿大学、名古屋市立大学、熊本大学
- ✓ 投与：ニボルマブ（注射）＋RS5614（内服）8週間
- ✓ 主要評価項目：奏効率（RECIST）

有効性

- 奏効率： **24.1%**（CR＋PR）
- 疾患制御率：62%（CR＋PR＋SD）

安全性

- 治験薬と因果関係の可能性がある重篤な有害事象：5.9%

本剤の有効性

主要評価項目

被験者数	29
奏効率（%）	7 (24.1%)
95%信頼区間	[10.3%, 43.5%]

分類	例数（%）
完全奏功（CR）	1 (3.4%)
部分奏功（PR）	6 (20.7%)
安定（SD）	11 (37.9%)
進行（PD）	11 (37.9%)

主要評価項目を達成しPOCを取得

2024年8月に厚生労働省希少疾患医薬品指定 2025年2月より第三相医師主導治験を開始

希少疾患医薬品指定

第Ⅱ相医師主導治験の結果を基に指定を受ける

希少疾病用医薬品指定書

令和6年5月30日付けで申請のあった次の医薬品を、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（昭和35年法律第145号）第77条の2第1項に基づき、希少疾病用医薬品として指定する。

医薬品の名称：TM5614

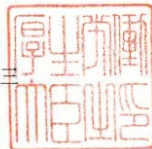
予定される効能又は効果：がん化学療法後に増悪した根治切除不能な悪性黒色腫

氏名又は名称：株式会社レナサイエンス

令和6年8月28日

厚生労働大臣

武見 敬三



第Ⅲ相試験（医師主導治験）概要

- ✓ デザイン：多施設共同、二重盲検、2群プラセボ対照比較試験
- ✓ 対象：抗PD-1抗体無効性新構成悪性黒色腫患者
- ✓ 症例数：124例
- ✓ 実施期間：2025年2月～2029年7月
- ✓ 投与：ニボルマブ（注射）+ RS5614（内服）48週間
- ✓ 主要評価項目：全生存期間（Overall survival、OS）
- ✓ 実施機関：東北大学病院、札幌医科大学附属病院、を含む18施設

- 2025年1月に東北大学倫理審査員会の承認取得
- 2025年2月に第Ⅲ相試験における最初の投与を開始

免疫チェックポイント分子阻害作用に基づく適応拡大

第Ⅱ相医師主導治験実施中

非小細胞肺癌

非小細胞性肺癌

- ✓ デザイン：非盲検試験
- ✓ 対象：切除不能又は根治照射不能な臨床病期 III 期、IV 期、又は化学放射線後、根治手術後再発と診断された 3次治療以降の非小細胞肺癌
- ✓ 被験者数：39例
- ✓ 投与：ニボルマブ（注射）+ RS5614（内服）
- ✓ 実施機関：広島大学、島根大学、岡山大学、鳥取大学、四国がんセンター、広島市民病院など
- ✓ 主要評価項目：奏効率（RECIST）

皮膚血管肉腫

皮膚血管肉腫

- ✓ デザイン：非盲検試験
- ✓ 対象：皮膚血管肉腫
- ✓ 被験者数：16例
- ✓ 投与：パクリタキセル（注射）+ RS5614（内服）
- ✓ 実施機関：東北大学、自治医科大学、九州大学、名古屋市立大学、国立がん研究センター中央病院、がん研究会有明病院など
- ✓ 主要評価項目：奏効率（RECIST）

2.1.2 呼吸器疾患治療薬

当社PAI-1阻害薬（RS5614）は、数多くの国内外アカデミアとの共同研究から、肺の血栓、炎症、線維化、気腫を改善しまた肺上皮細胞の保護作用を有することが示された

適応症	実施医療機関	補足	2025年3月期
新型コロナウイルス肺傷害	□ 東北大学、京都大学、東京科学大学、東海大学等20の大学／医療機関 □ 米国・ノースウェスタン大学 □ トルコ・メディニエット大学	□ 2023年4月 後期第Ⅱ相試験治験総括報告書完成 ・ COVID-19患者における安全を確認 ・ 中等症Ⅰ患者や早期治療における有効性を示唆	□ 次相試験準備
全身性強皮症に伴う間質性肺疾患	東北大学、東京大学、金沢大学、大阪大学等10の大学／医療機関	□ マウス薬理試験にて既存薬（ニンテダニブ）より低用量で有意な効果を確認 □ 2023年10月 第Ⅱ相試験開始	□ 第Ⅱ相試験



COVID-19肺炎重症化治療薬：後期第Ⅱ相試験結果

主要評価項目、副次的評価項目、サブ解析結果は、症例数が少なく統計学的には有意差はなかったが、RS5614の方がプラセボ群より改善し有効性が示唆された

主要評価項目：酸素化の悪化指標スケール

群	例数	中央値
RS5614	30	1.5
プラセボ	31	4.0

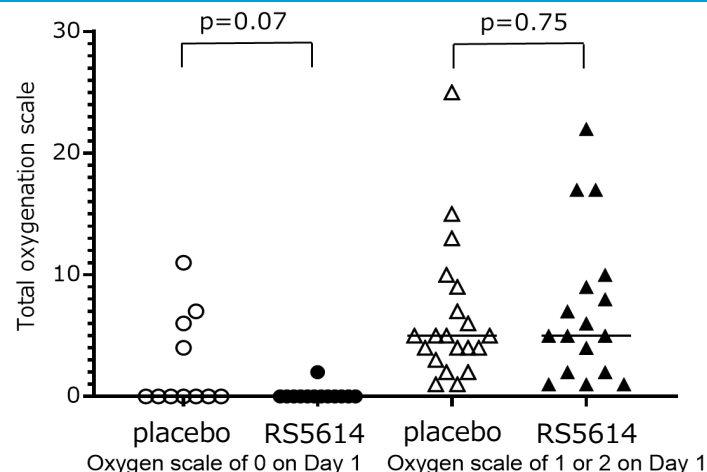
酸素化の指標スケール

- 0：酸素なし
- 1：経鼻ないしマスク酸素投与（ $\leq 2\text{ L}$ ）
- 2：経鼻ないしマスク酸素投与（ $> 2\text{ L}$ 、 $< 5\text{ L}$ ）
- 3：経鼻ないしマスク酸素投与（ $\geq 5\text{ L}$ ）またはリザーバー付きマスク酸素投与
- 4：ネーザルハイフローまたはNPPV（非侵襲的陽圧換気）
- 5：挿管下人工呼吸またはECMOまたは死亡

副次評価項目：酸素投与必要総日数

群	例数	中央値
RS5614	39	2.0
プラセボ	36	3.5

サブ解析：入院中の酸素化スケール変化



プラセボ群に対してRS5614群で肺傷害悪化の抑制が見られ、特に入院時点で肺炎所見があり、呼吸困難はあるが、酸素治療を必要としない中等症Ⅰ患者で酸素治療の必要性の低減（重症化の阻止）が見られた

今後の対応

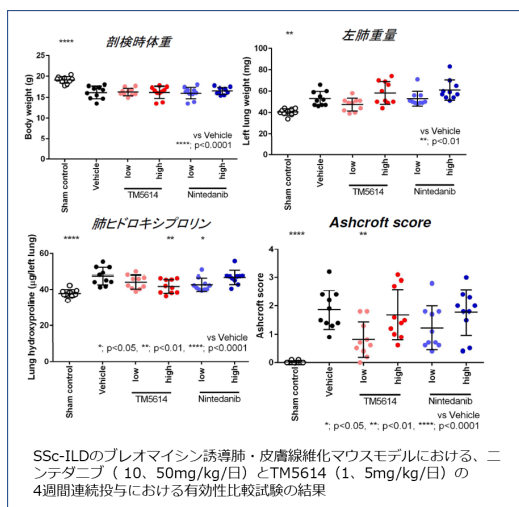
- 肺炎を惹起する新たな株の発生に際して速やかに次相臨床試験（軽症から中等症Ⅰの肺炎患者を対象）を実施できるよう準備
- 2023年4月にPMDA事前面談を実施済

2024年12月に第Ⅱ相試験の目標症例登録を達成

当薬剤のコンセプト

- 全身性強皮症（SSc）（指定難病51）は、皮膚と内臓諸臓器の血管障害と線維化を特徴とする全身性の自己免疫疾患である。
- SScでは慢性炎症が高度な線維化に置換されていくのが特徴であるため、他の膠原病に比してステロイドや免疫抑制薬の効果は極めて限定的。
- PAI-1阻害薬RS5614は、非臨床試験において、炎症、血管障害、血栓、線維化（肺線維化を含む）を抑制することを確認。

SSc-ILDモデルであるブレオマイシン誘導皮膚/肺線維化マウスに、RS5614を連日経口投与したところ、肺ヒドロキシプロリン量をRS5614は用量依存性に低下させた。



第Ⅱ相試験（医師主導治験）概要

- ✓ デザイン：多施設共同、2群、プラセボ対照ランダム化二重盲検試験
- ✓ 対象：免疫抑制薬で治療中の全身性強皮症に伴う間質性肺疾患患者
- ✓ 被験者数：50例
- ✓ 投与：ミコフェノール酸モフェチル（MMF）+RS5614（内服）
- ✓ 実施機関：東北大学病院、東京大学医学部附属病院など10施設で実施
- ✓ 主要評価項目：前観察期と比較した48週時点の努力性肺活量の変化量

- 2024年12月に第Ⅱ相試験の目標症例数登録を達成
- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の令和5年度「難治性疾患実用化研究事業」に採択

2.1.3 脱毛症治療薬

RS5441の独占的権利を米国エイリオン社に許諾

第Ⅱ相試験に向けてエイリオン社で準備中

当薬剤のコンセプト

PAI-1を過剰発現するトランスジェニックマウスを作成したところ、脱毛が著しいことが明らかとなった（J Thromb Haemost 2007）。

当社のPAI-1阻害薬RS5441を当該マウスに与えたところ、著明な発毛が認められた。

PAI-1-stab Tgマウスの外見

未治療群

RS5441 投与群



8週間のRS5441投与により発毛が促進

エイリオン社での開発

非臨床試験

ET-02（RS5441を主成分）による治療4ヶ月目の発毛率は、同じ実験移植モデルを用いた標準治療薬ミノキシジル(N=103)による発毛率の4倍高いという結果が得られた。

第Ⅰ相試験

- ✓ デザイン：二重盲検プラセボ対照試験
- ✓ 被験者数：24例
- ✓ 投与：1日1回の外用、28日間投与
- 安全性：ET-02（RS5441）は安全で、良好な耐受性を示した。
- 発毛：別の臨床試験で測定された4か月の治療後の局所ミノキシジルよりも多くの非軟毛の成長を示した。

第Ⅱ相試験 エイリオン社で準備中

2.1.4 人工知能（AI）を活用したプログラム医療機器（SaMD）

実施臨床（診断や治療）に直結したプログラム医療機器（SaMD） 医療機関・ITベンダー・事業会社をつなぐハブとして推進

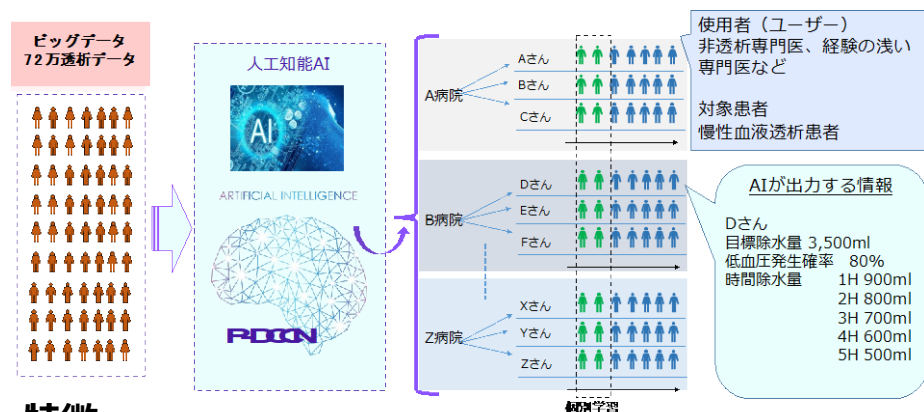
プロジェクト		共同研究・提携先			
		医療機関・診療科		ITベンダー	事業会社
事業化 開発	RSAI01 呼吸機能検査診断	京都大学	呼吸器内科	NES	チェスト
	RSAI02 維持血液 透析医療支援	東北大学 聖路加国際大学 東京大学 国際医療研究センター 民間透析医療機関	腎臓内科	NEC NES	ニプロ 東レ・メディカル
	RSAI03 糖尿病治療支援	東北大学 など4 医療機関	糖尿病内科	NEC NES	
	RSAI04 嚥下機能低下診断	東北大学	耳鼻科、歯科、口腔 外科、リハビリテー ション科	NEC	

- 2022年11月 NES基本合意書、2023年6月 NEC共同研究契約書（基本合意書）締結
- 2024年度JST産学共創プラットフォーム共同研究推進プログラム（OPERA）参画（災害時等の緊急事態に地域医療を支える基盤技術としてのAI開発）

透析中血圧低下の発生有無を90%の確率で予測 目標除水量を透析専門医と130mlの誤差で予測可能なSaMD

コンセプト

- 慢性血液透析患者は、廃絶した腎臓の代わりに除水と老廃物の除去を週3回一生行う
- 数十名の患者に対して、1名の医師と数名の看護師などの少ないスタッフで治療を行っており、有害事象の発生は大きな負担となる
- 安全安心な透析を支援するために、最適な目標除水量を予測するプログラム医療機器（人工知能AI）を開発



特徴

- 深層学習をベースに複数の時系列を分析するDual-Channel Combiner Network (DCCN)を開発
- 日本の血液透析患者34万人の1%に相当するビッグデータで学習

これまでの成果

学習施設以外のデータを用いて精度を検証した結果、学習施設とほぼ同程度の精度であることを確認

	16施設 平均	学習データ 採取13施設	学習データ採取施設とは異なる施設		
			施設A	施設B	施設C
正解率(%)	89.4	90.1	87.8	88.8	86.4
平均絶対誤差 MAE(mL)	123.9	119.6	131.1	132.5	139.6
平均絶対誤差率 MAPE(%)	5.26	5.14	6.18	5.55	5.41
透析回数	94,314	69,997	4,725	5,826	13,766

- AMED医療機器開発推進研究事業採択（2023年2月）
（代表機関：東北大学、レナサイエンスは協力機関）
- 東レ・メディカル株式会社と透析装置搭載型AIの共同開発契約締結（2023年12月）
- ニプロ株式会社と共同開発契約締結（2024年3月）

臨床性能試験

目的： AIの目標除水量予測性能の透析専門医に対する非劣性の検証

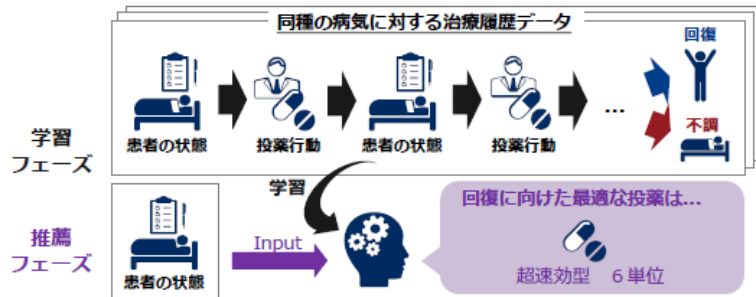
主要評価項目： 専門医による適切な処方に対して正解率（Correct rate）を評価する

- 2025年4月目標症例登録達成（150例）

インスリン投与量を予測するSaMD 糖尿病専門医の処方から2単位程度の誤差で予測可能

コンセプト

- 日本には糖尿病患者が約1,000万人、インスリン治療中の患者が約100万人も存在する
- 専門医は医師全体の2%で、多くの患者は非専門医を主治医とすることから、合併症予防に重要なインスリン治療の妨げとなっている
- 非専門医の治療を支援するために、専門医の処方を模倣したプログラム医療機器（人工知能AI）を開発



特徴

- 学習手法の1つである「模倣学習」をベースにSkill Acquisition Learning (SAiL) を構築
- SAiLに専門医の行動パターン（1,000症例の治療）を学習し「DM-SAiL」を完成させた

これまでの成果

- 専門医のインスリン投与量から複数の施設で2単位程度の誤差で投与量を予測可能
- 高い正解率を達成、専門医処方からの誤差（MAE; 平均絶対値誤差）も極めて小さい
- 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（2022年4月）（代表機関：レナサイエンス）

臨床性能試験

目的： AIインスリン単位予測性能の糖尿病専門医に対する非劣性の検証

主要評価項目： 専門医による適切な処方に対して正解率（Correct rate）を評価する

試験結果

対象数：116症例

有効性：正解率 85.46%（**POC取得**）

糖尿病専門医に対する非劣性（同等）を検証することを目的として、多施設共同検証的臨床性能試験を実施し、POCを取得しました。

音声から嚥下機能低下を評価

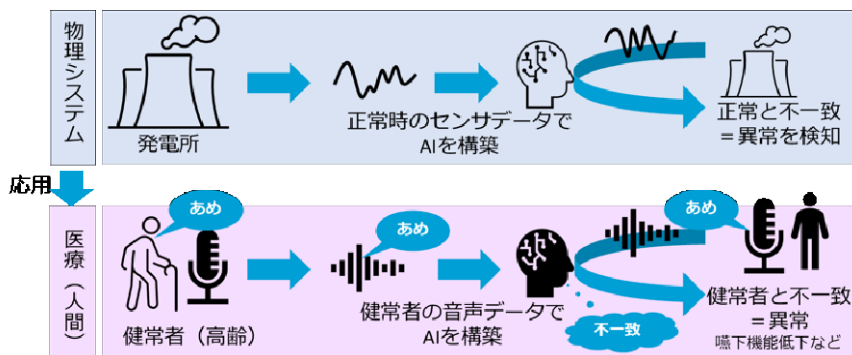
健常者のベースラインを確認し、患者音声を区別可能なAIを開発済

コンセプト

- 高齢者の主な死亡原因となる肺炎の約7割が誤嚥性肺炎だが、嚥下機能低下の簡便な評価法はない
- スクリーニング：言語聴覚士（ST）の構音評価が実施される場合があるが、ST 5 名による聞き取り判断を要し、時間も要するため多くの被検者への対応が難しく、客観性に欠けるなど課題が多い
- 確定診断：嚥下機能の評価に嚥下内視鏡検査や嚥下造影検査が行われるが、医師による実施や専用設備が必要で、患者の負担は大きい。

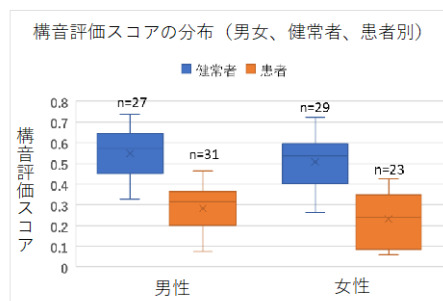
特徴

- 発電所や工場の異常検知AI「モデルフリー分析」を初めて医療応用

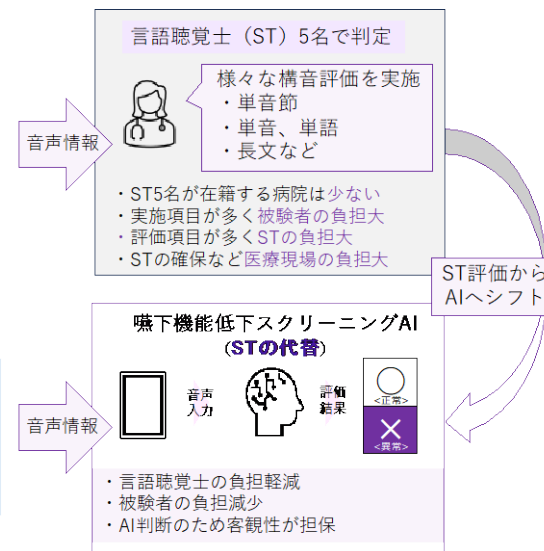


これまでの成果

構音評価AIを用いて音声による健常者と患者の分類は可能であることを確認



- 50代以降の健常者56名(男性27名、女性29名)の25単語の音声をAIが学習
- AIが学習した健常者と学習とは異なる健常者、患者の25単語の平均一致率で判定
- 現時点でSTと平均80%の一致率で評価可能
- 高齢データを追加学習し精度向上を計る



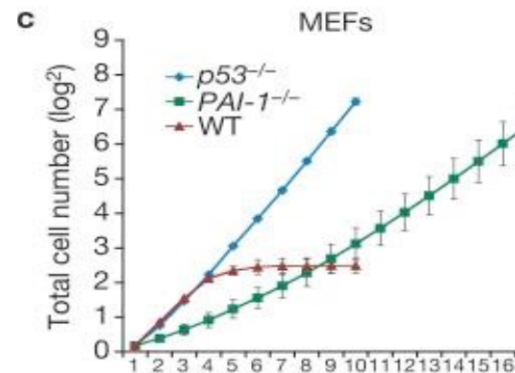
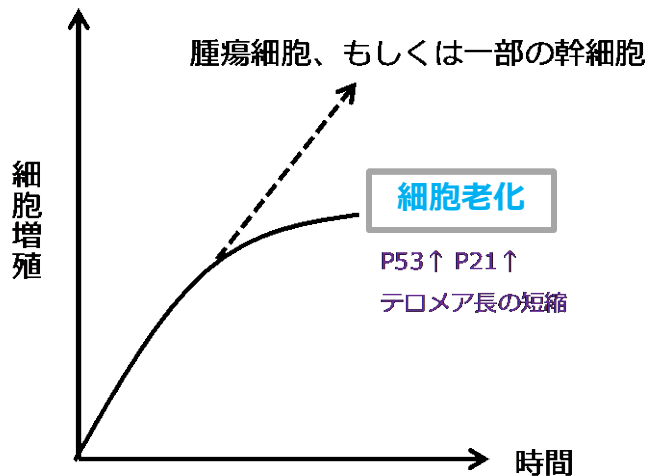
今後の取組み

- 患者音声や臨床情報を活用して、嚥下機能低下予測の精度を向上する
- 臨床性能試験の準備を進める

2.2 新たな取り組み（長寿）

PAI-1の発現は老化に大きな影響を与える

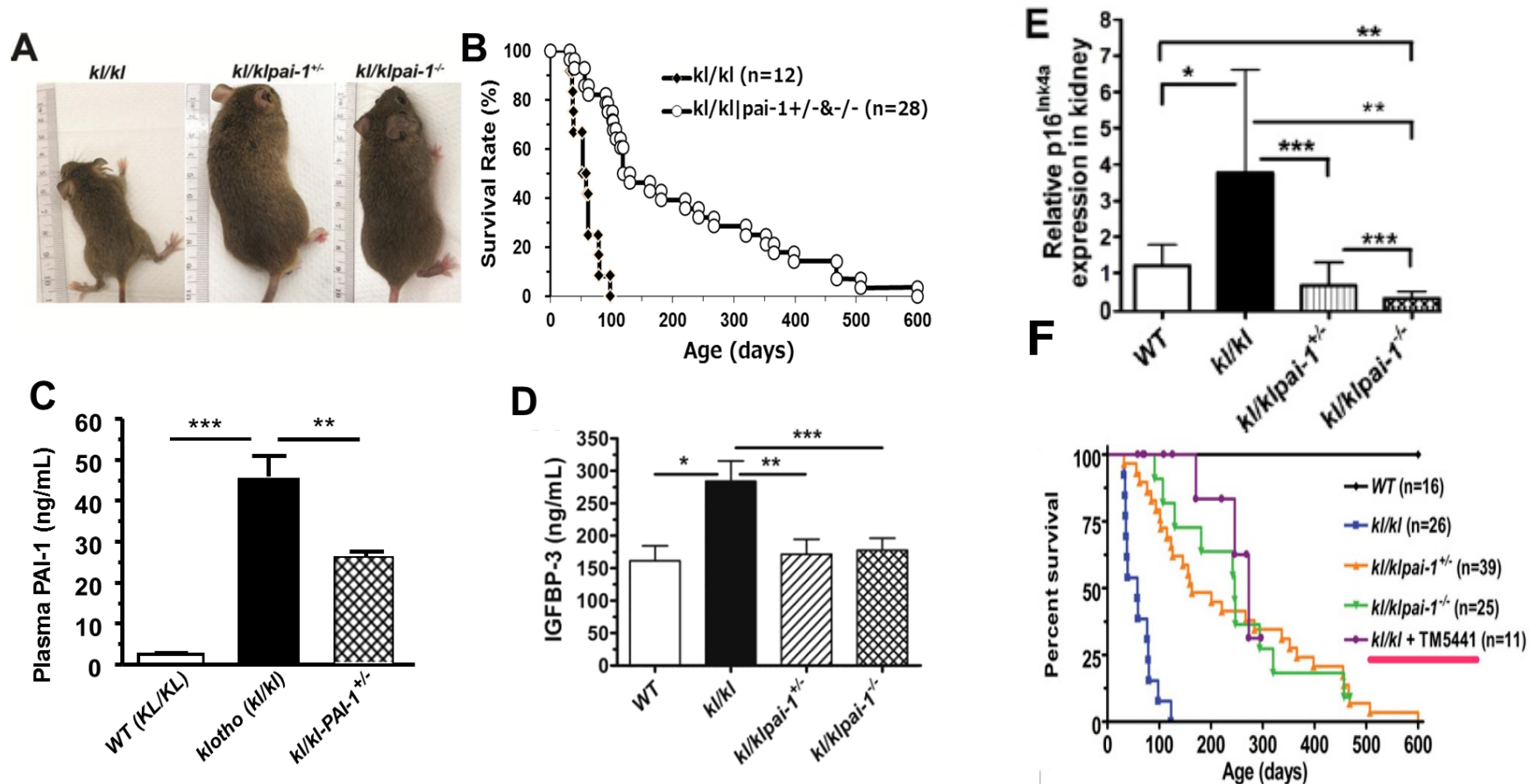
PAI-1阻害薬による細胞の老化マーカーの改善



- **細胞周期調節因子**
p16ink4a、p21、p53、p16、IGFBP3の抑制
- **SA-β-gal染色**
老化関連βガラクトシダーゼ (SA-β-gal) の抑制
- **細胞老化随伴分泌**
IL-6等のインターロイキンなどの抑制 (SASP : senescence-associated secretory phenotype)
- **DNA損傷応答 (DDR) の減少**

- PAI-1阻害薬が、心筋細胞、血管内皮、線維芽細胞の**細胞老化**を阻害し (Oncotarget、2016)、**ハッチンソン・ギルフォード早老症**患者線維芽細胞の老化を改善 (Cell Death and Disease、2022)

老化マウスklothoではPAI-1の発現が高い PAI-1阻害剤はklothoマウスの老化関連症状を著明に改善



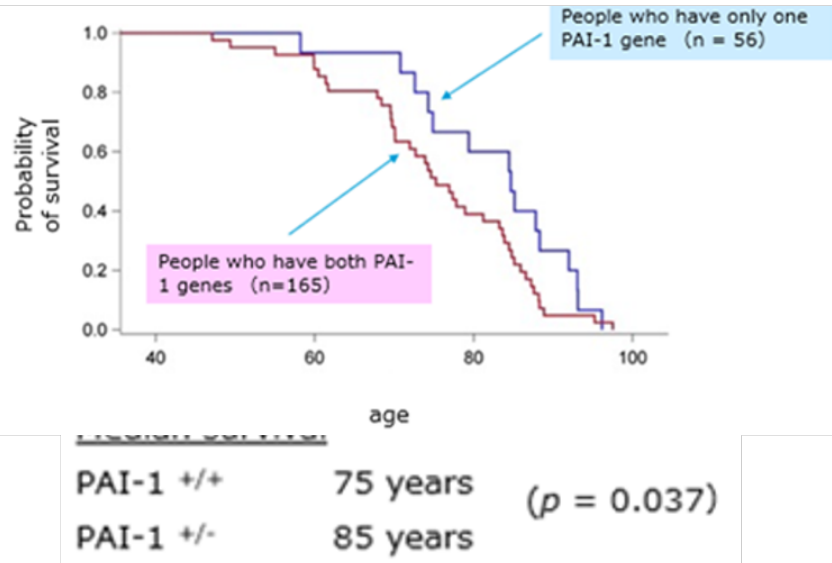
様々な加齢疾患でPAI-1の組織発現は高く、PAI-1阻害薬で改善

疾患	文献	疾患	文献
慢性 骨髄性白血病	☐ Blood 2012 ☐ Stem Cells. 2014 ☐ Blood. 2017 ☐ Biochem ,Biophys Res Commun. 2019 ☐ Haematologica 2021 ☐ BBRC 2021 ☐ Tohoku J Exp Med. 2022 ☐ Cancer Med. 2023	血管 (動脈硬化)	☐ Circulation. 2013 ☐ Oncotarget. 2016 ☐ Science Advances. 2017
悪性黒色腫	☐ PLoS One. 2015 ☐ Cancer Biol Ther. 2015	代謝 (糖尿病、 肥満)	☐ Br J Pharmacol 2016 ☐ Oncotarget 2017 ☐ Hepatol Commun 2018 ☐ Front Pharmacol 2020 ☐ Mol Med Rep 2020 ☐ Science Reports 2021 ☐ Obesity 2021
肺 (肺気腫、 慢性閉塞性 肺疾患)	☐ Arterioscler Thromb Vasc Biol 2008 ☐ Am J Respir Cell Mol Biol 2012 ☐ Proc Natl Acad Sci USA. 2014 ☐ PLoS One 2015 ☐ Am J Physiol Lung Cell Mol Physiol 2016 ☐ Am J Respir Cell Mol Bio 2020 ☐ Environ Pollut 2021	骨・関節 (骨粗鬆症)	☐ FEBS Open Bio 2018 ☐ BBRC 2021
		脳 (アルツハイ マー病)	☐ PLoS One 2015 ☐ J Alzheimers Dis 2018 ☐ Psychopharmacology (Berl) 2023
		腎 (慢性腎臓病)	☐ Arterioscler Thromb Vasc Biol. 2013 ☐ PLoS One 2016

長寿をもたらすPAI-1遺伝子欠損（ヒト、マウス）

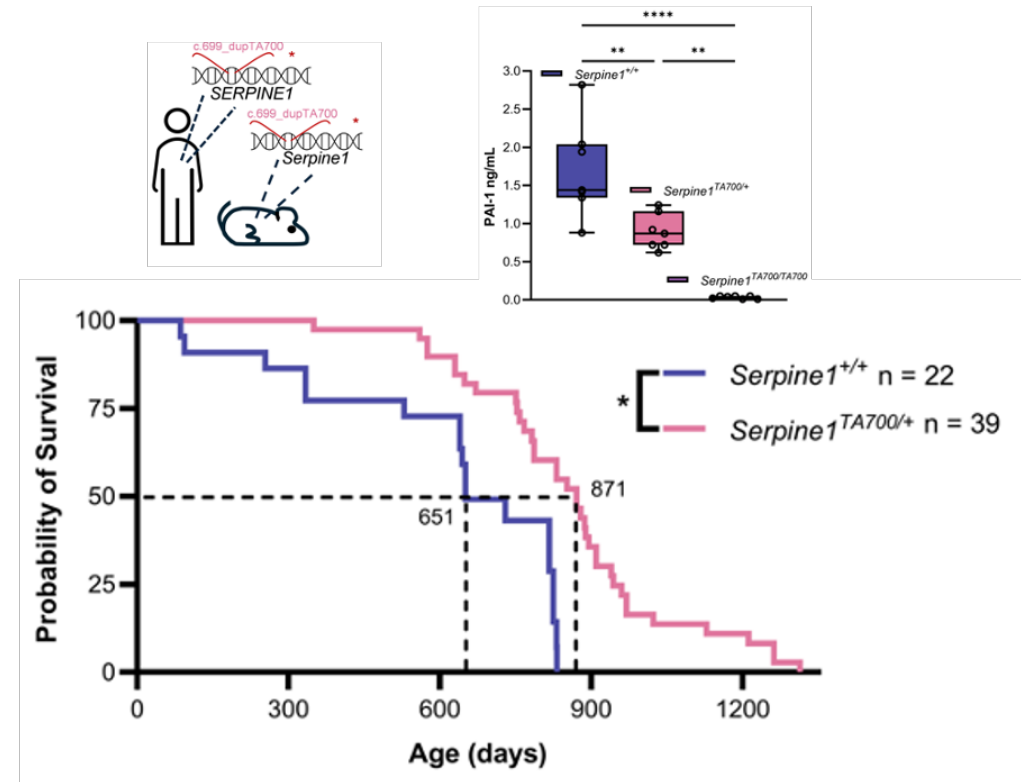
PAI-1の欠損はヒト及びマウスで寿命を延伸

ヒト（米国アーミッシュ）の
人々を対象とした調査で、
PAI-1遺伝子を持たない人は持
つ人に比べて**10年長生き**



Science Advances 2017

アーミッシュ（ヒト）と同じ遺
伝子背景を有する**マウス**は正常
マウスに比べて**25 %長命**

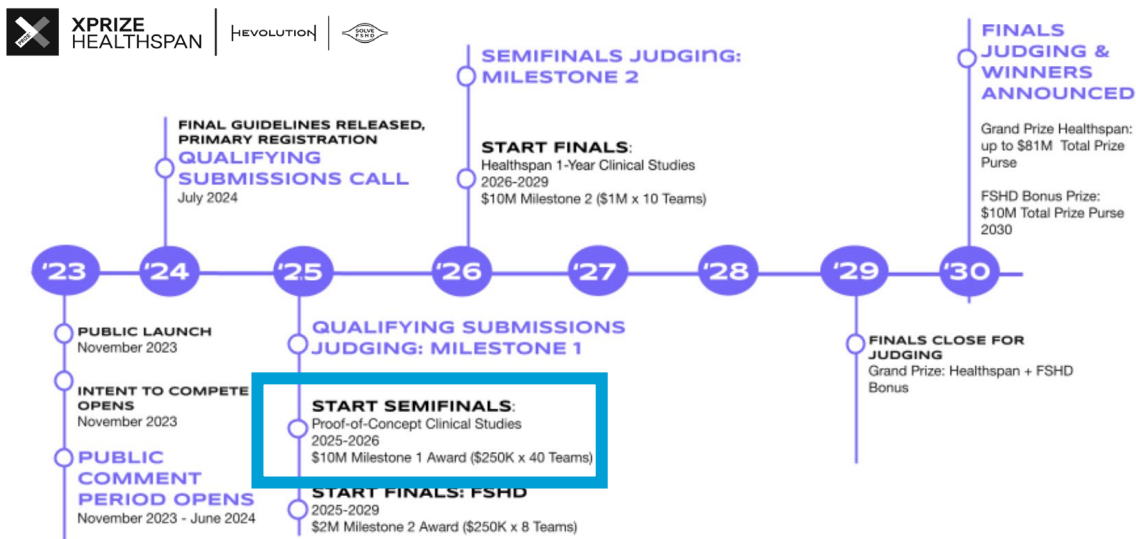


Douglas Vaughan unpublished

XPRIZE財団が主催する健康寿命を延伸する 世界的なコンペティションへの参加

- 目的** : 健康寿命の延命を実現する医療介入（サプリ、食品、医薬品等）方法の開発
- 審査** : 重篤な疾患のない50～70歳の人に対し、1年間の治療を行い、抗加齢（筋肉・認知機能・免疫機能等の機能改善）で評価（**計7年間**のコンペティション）
- 参加チーム** : 約600チームが登録（日本から25チーム）、226チームが最終審査を通り（日本から十数チーム）、準決勝に40チームが進出

レナサイエンス・東北大学チームは**上位40位以内**へ入賞（賞金：**25万ドル≒3,700万円**）



今後はセミファイナル試験を実施し、上位10チーム入賞を目指す。

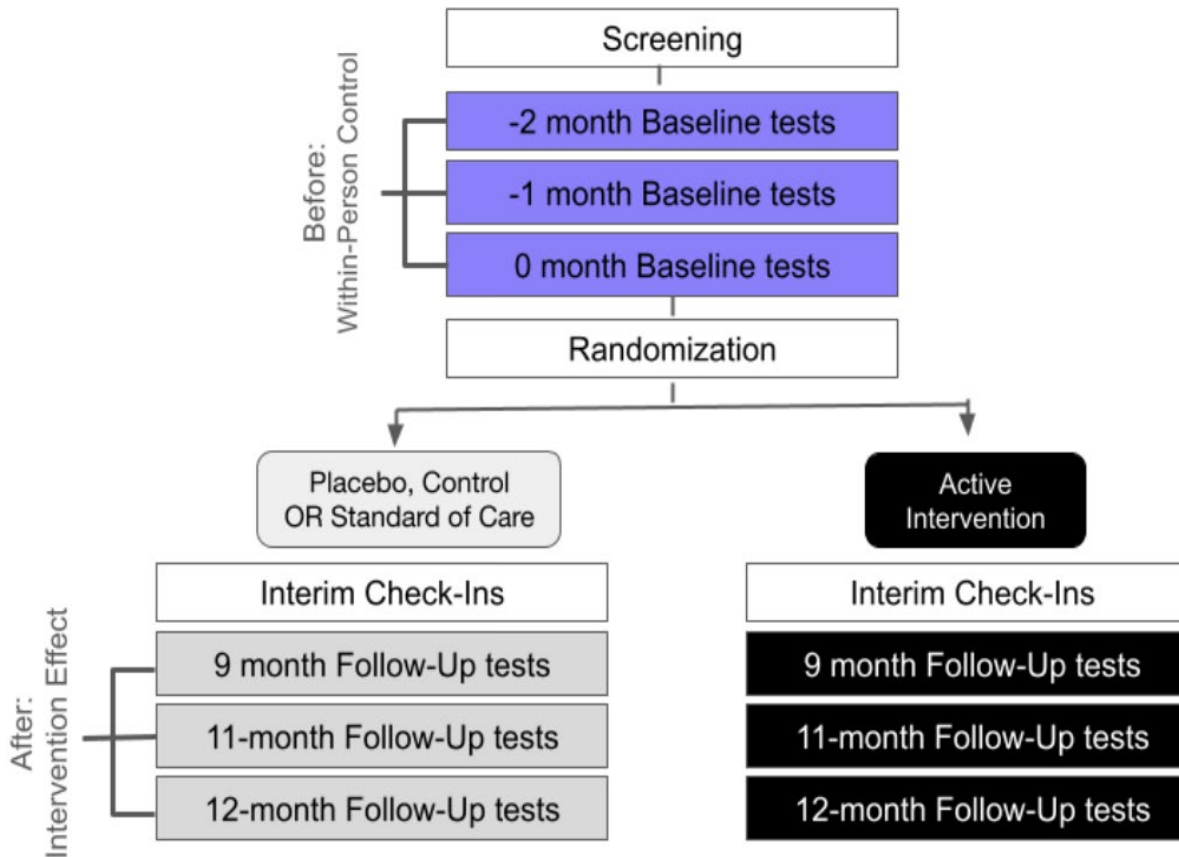
最終的にグランプリを受賞した場合には、寿命を延ばした年数に応じて賞金が授与される。

10年：6,100万 米ドル
15年：7,100万米ドル
20年：8,100万米ドル



XPRIZE Healthspan : Final臨床試験

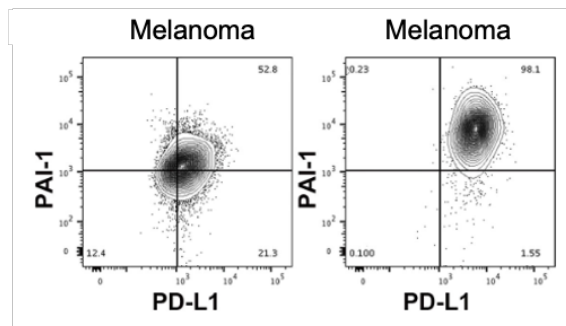
- クロスオーバー対象試験（1年間投与）、計4年間の試験期間
- 100名程度（40–200名）の患者
- 個々の患者での試験期間は平均16ヶ月（最短14ヶ月）
- 目標：対照群と比較して、**3つのシステム（筋肉、認知、免疫）すべてにおいて少なくとも10年以上の機能改善を実証**する



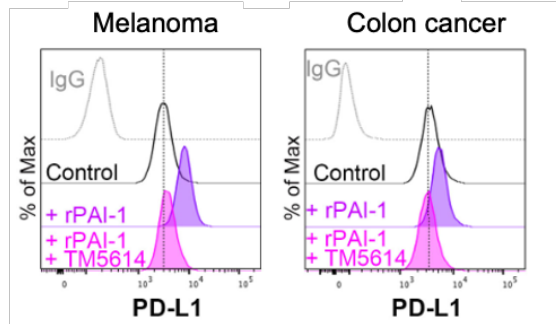
PAI-1阻害薬の免疫への作用（マウス）

Front Immunol 2024

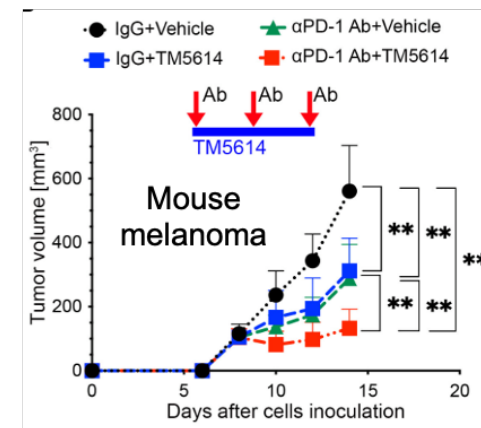
PAI-1と免疫チェックポイント分子PD-L1



免疫チェック ポイント分子の阻害



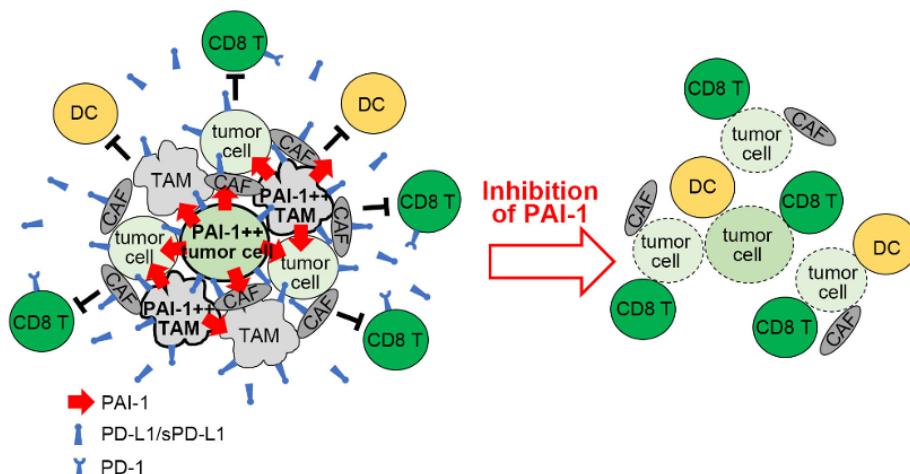
がんサイズの縮小



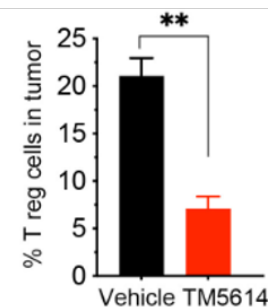
PAI-1阻害薬によるがん免疫の活性

PAI-1 protects tumor from immune surveillance

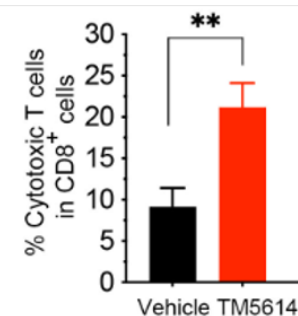
Inhibition of PAI-1 restores tumor immunity



細胞障害性Tリンパ球の増加



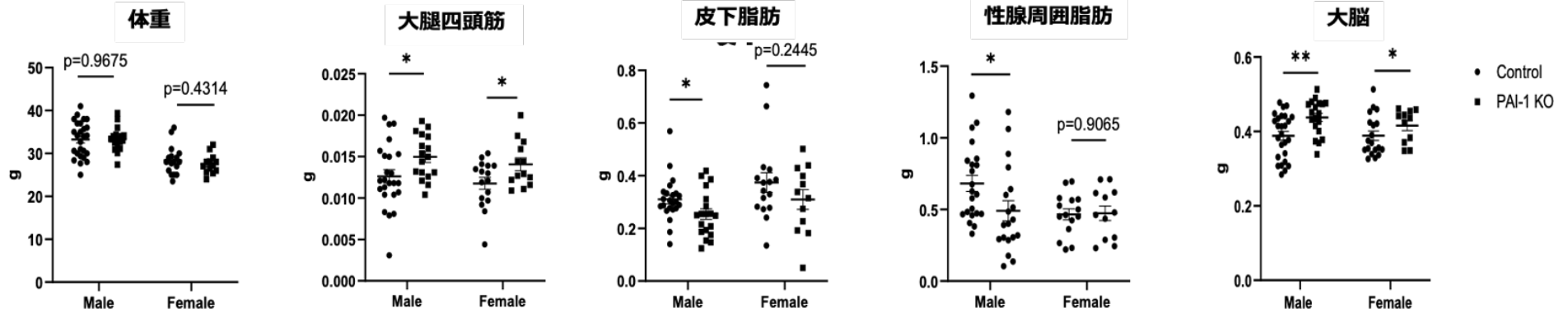
制御Tリンパ球の減少



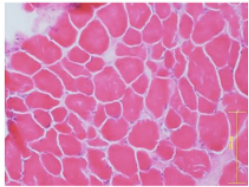
PAI-1阻害薬の筋肉・骨への作用（マウス）

脳及び大腿4頭筋の重量増加、脂肪量減少（PAI-1欠損マウス）

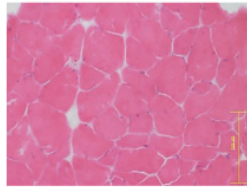
Biochem Biophys Res Commun 2021



高齢マウスでの 筋肉量増加 (PAI-1阻害薬)



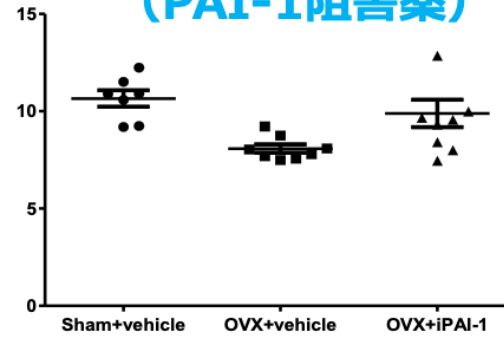
Control



TM5484

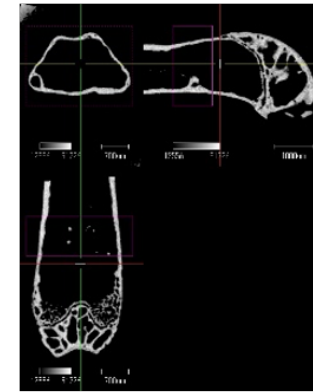
Biochem Biophys Res Commun 2021

閉経マウスでの 骨量増加 (PAI-1阻害薬)

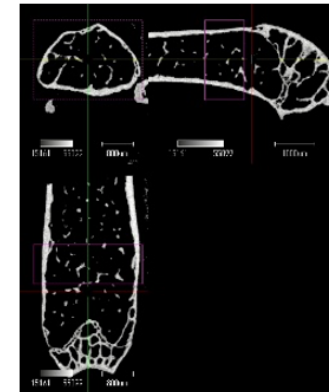


Scientific Reports 2023

高齢マウスでの骨量増加 (PAI-1欠損マウス)



正常

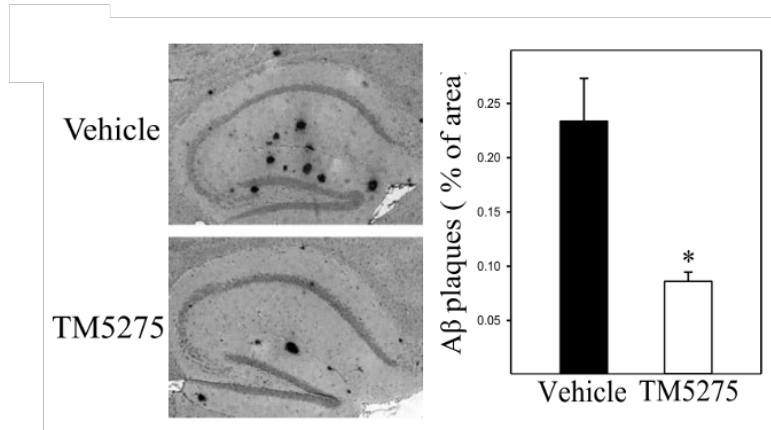


PAI-1欠損

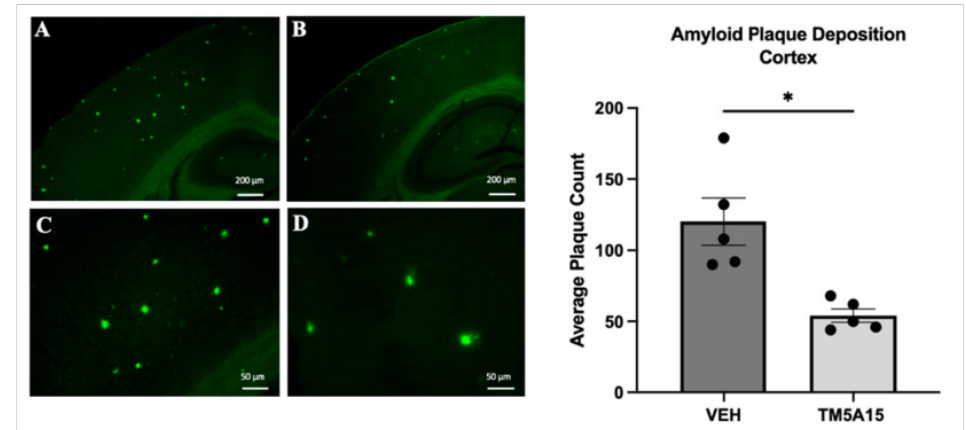
FEBS Open Bio 2018

アミロイド沈着を減少（PAI-1阻害薬）

J Alzheimers Dis. 2018

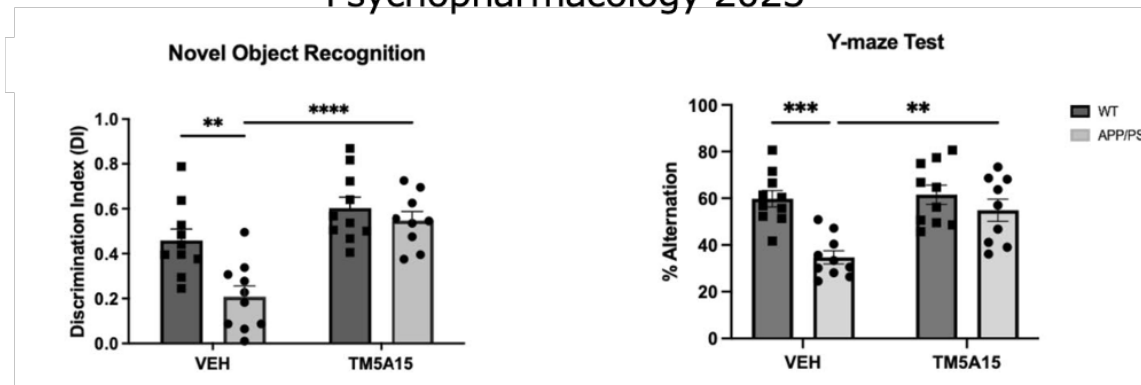


Psychopharmacology 2023



アルツハイマー病マウスの認知障害や学習障害を予防（PAI-1阻害薬）

Psychopharmacology 2023

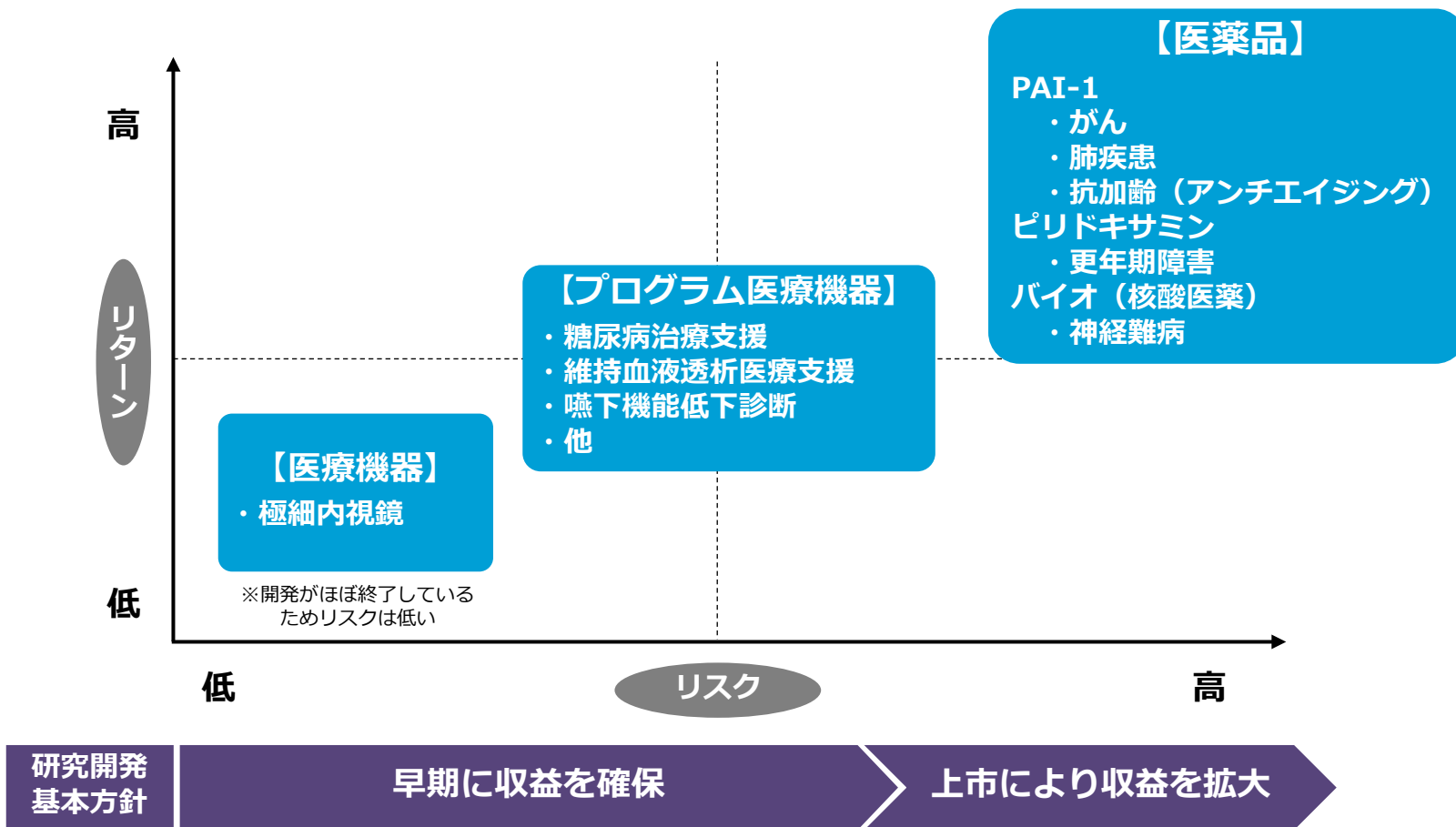


3. 今後の成長戦略



医療機器・プログラム医療機器による早期収益確保、医薬品上市による収益拡大
医療用医薬品に加えて、OTC医薬品、医薬部外品などへの事業展開も検討

【当社の医療ソリューション】（モダリティ）





大学など公的研究機関並びに医療機関とのネットワーク拡大による研究推進 医療機器とプログラム医療機器上市による早期収益確保、医薬品上市による収益拡大

医薬品

- がん関連パイプラインの第Ⅲ相試験終了と確実な事業化
 - ・ 慢性骨髄性白血病（CML）
 - ・ 悪性黒色腫
- 上記希少がん以外のがん（肺がん、膵臓がん）への適応拡大
- がん以外の新規適応症発見（ドラッグリポジショニング）

抗加齢（アンチエイジング）

- XPRIZE Healthspanにおいて、セミファイナル試験を実施し、上位10チーム入賞を目指す（2026年末）

人工知能（AI）プログラム医療機器

- 開発段階パイプラインの早期事業化による収益確保
- パイプラインの臨床性能試験終了と確実な事業化
 - ・ 糖尿病治療支援（AI）
 - ・ 維持血液透析医療支援（AI）
- 外部機関との共同研究によるプログラム医療機器パイプライン拡大

医療機器（内視鏡）

- ディスポーザブル極細内視鏡の事業化による安定収入の確保（ロイヤリティ収入）

4. 数値情報

当社医薬品候補の市場規模は、国内では数十億～数百億円、海外を含めると数千億以上の規模に及び、その多くの市場で競合品は存在しない

パイプライン市場規模

(2025年3月時点)

パイプライン		治療標的 セグメント患者数		当社推定市場規模 (TAM)	当社製品の特長
慢性骨髄性 白血病		日本	1.4万人	890億円	• 抗がん剤併用で根治が期待される • 同様な作用の臨床開発品無し
		米国	4.0万人	9,500億円	
免疫 チエッ クポイ ント 阻害 薬	悪性 黒色腫	日本	0.4万人	150億円	• 免疫チェックポイント阻害作用を有 する低分子医薬品（既存の抗体 医薬と同様な作用） • 内服薬 • 現状で内服可能な免疫チエッポイ ント阻害薬の上市・開発品無し
		米国	8.0万人	11,000億円	
	非小細 胞肺がん	日本	13.0万人	4,900億円	
		米国	22.3万人	31,000億円	
全身性強皮症 肺傷害		日本	0.8万人	300億円	• 内服可能な肺傷害治療薬 • 動物モデルにおいて優れた効果を持 つ
		米国	6.3万人	9,000億円	

医療機器及び人工知能を用いたプログラム医療機器で上市に近いものの
市場規模は数億～数十億円規模であり、現状、競合品は存在しない

パイプライン市場規模

(2025年3月時点)

パイプライン	治療標的 セグメント患者数	当社推定市場規模 (TAM)	当社製品の特長
極細内視鏡 (腹膜透析)	日本：1.0万人	16億円	- 腹膜透析患者のカテーテルを通じた腹膜状態の観察が可能 - 現状で競合品無し
維持血液透析 医療支援	日本：34万人 透析施設：4,400施設	26億円	- 透析中の最適除水量を予測し血圧低下を予防する、透析施設の人的資源活用に貢献 - 現状で競合品無し
糖尿病治療支援	日本：10万人 入院施設：7,100施設	42億円	- インスリン投与量を専門医と同等精度で予測可能 - 現状で競合品無し
嚥下機能 低下診断	日本：148万人	41億円	- 構音から嚥下機能低下を簡便に診断することが可能 - 現状で競合品無し

臨床段階のパイプラインは着実に増加

分類	項目		単位	KPI実績		
				23/ 3 期	24/ 3 期	25/ 3 期
開発	臨床段階パイプライン数(年間)		本	9	10	9
	医師主導による治験等実施数(累計)		件	27	28	29
資金	公的資金獲得額 (当社パイプライン研究開発に活用した額)		億円	3.7	4.7	3.9
	研究開発費(年間)	公的資金補助分	万円	19,280	13,317	6,194
		自己負担額	万円	4,244	10,316	7,092
		総計	万円	23,524	23,633	13,286
導出 契約数	企業との導出契約数 (残存)		件	6	7	6

当初計画対比、新たな助成金の獲得やマイルストーンの収入があった一方、コスト削減の効果により営業利益ベースで大幅に収益が改善

損益計算書 (百万円)	25/3期			計画実績差異の主な内容
	計画*	実績	計画比%	
事業収益	90	132	147%	収益の追加計上 (エイリオン社のマイルストーン収入、AMEDのスマートバイオ創薬等研究支援事業の採択、チェスト社の契約一時金収入)
事業原価	0	3	—	—
事業費用	365	307	84%	—
研究開発費	165	132	80%	AMED採択による自己負担費用の削減 (糖尿病AI、核酸医薬など)
その他	199	174	87%	業務委託費の削減など
営業利益	△275	△178	—	—
経常利益	△275	△178	—	—
当期純利益	△108	113	—	債務免除益、解約金収入の計上



上場時の資金使途（変更なし）

【新規上場時の資金使途】（2024年05月開示）26年3月期までに充当

①	借入金返済	2.2億円	⑤	悪性黒色腫	1.0億円
②	CML治験費用(第Ⅲ相)	1.0億円	⑥	非小細胞肺がん	0.5億円
③	AI医療ソリューション	1.0億円	⑦	皮膚血管肉腫	0.5億円
④	新規モダリティ	1.2億円	⑧	運転資金	9.0億円

【今後の見通し】

① 借入金返済：実施済（2022年3月期）

② CML治験費用：

- ・ 2022年8月から第Ⅲ相医師主導治験を開始、その費用に充当
- ・ AMED革新的がん医療実用化研究事業（代表機関：東北大学）の延長により研究開発費自社負担が軽減

③ AI医療ソリューション（プログラム医療機器）：

- ・ 糖尿病治療支援プログラム医療機器及び維持血液透析医療支援プログラム医療機器の臨床性能試験費用に充当
- ・ AMED研究費獲得により研究開発費自社負担が軽減

④ 新規モダリティ：

- ・ 大阪大学や京都大学などの研究機関及びルクサナバイオテック株式会社との核酸医薬シーズ開発
- ・ AMED研究費獲得により研究開発費自社負担が軽減



⑤ 悪性黒色腫

- 2024年2月第Ⅱ相医師主導治験が終了し、POCを取得
- 2024年8月に厚生労働省から希少疾患医薬品指定
- 2025年2月より第Ⅲ相医師主導治験の開始、その費用に充当
- 具体的には、各医療機関（治験施設）で必要な経費、CRO委託費、治験調整事務局委託費や治験薬調製などの治験関連費用に充当する予定

⑥ 非小細胞肺がん（追加）

- 2023年9月より第Ⅱ相医師主導治験を開始し、その費用に充当
- 具体的には、各医療機関（治験施設）で必要な経費、CRO委託費や治験調整事務局委託費などの治験関連費用に充当する予定

⑦ 皮膚血管肉腫（追加）

- 2023年10月より第Ⅱ相医師主導治験を開始し、その費用に充当
- 具体的には、各医療機関（治験施設）で必要な経費、CRO委託費や治験調整事務局委託費などの治験関連費用に充当する予定

⑧ 運転資金（追加）

- 事業運営上必要となる経常的な一般管理費用（人件費、支払家賃、支払報酬、支払手数料等）として充当する予定

5. リスク情報



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	影響度	対応策
特定人物への依存について	■ 当社は、宮田会長（東北大学教授）の研究成果の事業化を目的として設立され、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 ■ 同氏の会社経営の執行が困難となった場合等には、当社の事業等に大きな影響を及ぼす	中/中長期	大	優秀な人材の獲得により、宮田会長への依存度を軽減
収益の不確実性について	■ 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 ■ 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	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・プログラム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
研究開発の不確実性について	■ 医薬品、医療機器、プログラム医療機器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	中/中長期	大	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
資金繰りに関して	■ 医薬品、医療機器、プログラム医療機器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実施

Appendix

市場規模推定の前提条件（1）

		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：2.3万人*2 米国：6.6万人*3	- 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：1.4万人 米国：4.0万人 患者数の60%（TKI5年治療でDMRに達しない比率*4）	日本：21,200円 米国：79,400円 想定TAM*1 日本：890億円 米国：9,500億円	300日（副作用が少ないため）	- 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 *2：厚生労働省 令和2年患者調査 *3：NIH「Cancer Stat Facts: Leukemia — Chronic Myeloid Leukemia (CML)」(2020) *4：Journal of Clinical Oncology July 10, 2016 volume 34, number 20
	メラノーマ (Ph3)	日本：0.5万人*5 米国：10万人*6	- 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：0.4万人 米国：8万人 8割が免疫チェックポイント阻害薬治療の対象	日本：21,200円 米国：79,400円 想定TAM*1 日本：150億円 米国：11,000億円	180日	経口免疫チェックポイント阻害薬開発品なし *5：厚生労働省、令和2年患者調査 *6：皮膚悪性腫瘍ガイドライン2019
	非小細胞肺がん (Ph2)	日本：32.5万人*7 米国：55.8万人*8	- 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	日本：13.0万人 米国：22.3万人 非小細胞肺がんは肺がんの8割程度であり、そのうち5割がステージ3又は4で免疫チェックポイント阻害薬の適応対象	日本：21,200円 米国：79,400円 想定TAM*1 日本：4,900億円 米国：31,000億円	180日	経口免疫チェックポイント阻害薬開発品なし *7：厚生労働省、令和2年度患者調査 *80：American Lung Association 2017：

*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CML、メラノーマ、非小細胞肺がんの薬価を適用



市場規模推定の前提条件（2）

		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)	全身性強皮症 (Ph2)	日本：2.7万人* ⁹ 米国：23.9万人* ¹⁰	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	日本：8,100人 米国：63,000人 日本では30%がびまん性* ¹¹ で5～6年以内に内臓病変が出現 米国におけるSSc-ILD有病率は10万人あたり19.0人* ¹⁰	日本：21,200円 米国：79,400円 想定TAM*¹ 日本：300億円 米国：9,000億円	180日 (コンプライアンス50%を想定)	ニンテダニブ（ベーリンガーインゲルハイム） *9:平成29年度衛生行政報告例 第10章 難病・小児慢性特定疾病 特定医療費(指定難病)受給者証所持者数、年齢階級・対象疾患別 *10: Rheumatology 2021;60:1915-1925 *11: https://kyohisho.jp/

*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）
RS5614の薬価がアシミニブ塩酸塩類似薬効方式で算定されることを前提として全身性強皮症の薬価を適用

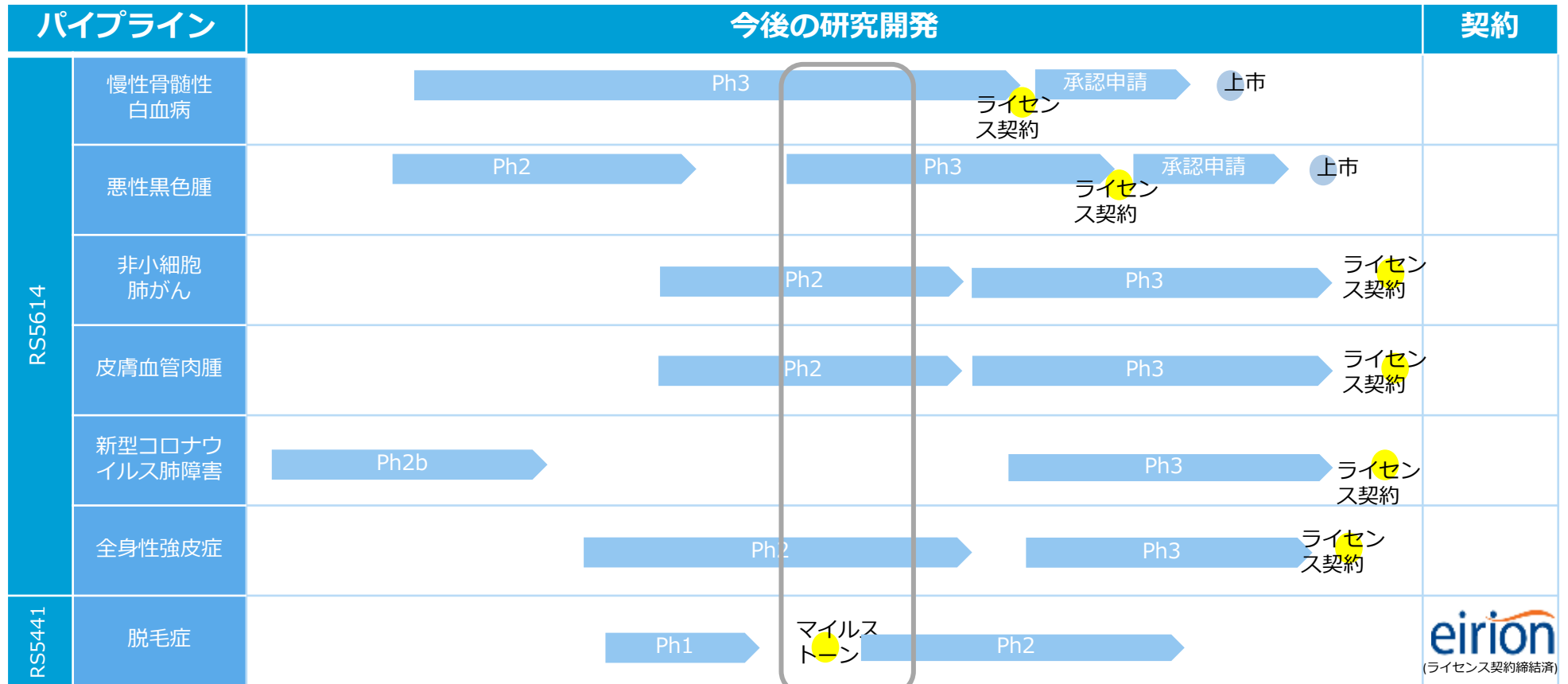
市場規模推定の前提条件 (3)

		患者数	当社開発品のユニーク点	事業性			競合品・開発品
RS9001 (腹膜透析内視鏡)	腹膜透析 (承認)	日本：1.0万人 ^{*2} 台湾：0.6万人 ^{*3} 韓国：0.7万人 ^{*4}	- 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	(治療標的セグメント患者数) 日本：1.0万人 台湾：0.6万人 韓国：0.7万人	(類似品1日薬価) 163,000円/回	1回/年	開腹もしくは硬性鏡による侵襲的観察
			想定TAM ^{*1} 日本：16億円 台湾：10億円 韓国：11億円				^{*2} ：一般社団法人 日本透析医学会統計調査委員会（2022） ^{*3} ：社團法人台灣腎友生活品質促進協會 ^{*4} ：Nature (2019) 9:5905 https://doi.org/10.1038/s41598-019-42508-z
RSAI02	維持血液透析医療支援	日本：34万人 国内透析施設数 4,400	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	<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	想定TAM ^{*1} 日本：26億円		同様な研究開発品なし
RSAI03	糖尿病治療支援	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	- 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	<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	想定TAM ^{*1} 日本：42億円		同様な研究開発品なし
RSAI04	嚥下機能低下診断	日本において40代から90代の口腔機能低下者の10%が嚥下機能低下の診断を受けると仮定：148万人	構音から嚥下機能低下を簡便に診断可能	<前提> 本システム使用料・年1,400円/を課金(仮定) <想定TAM> 1,400円/年 x 148万人 x 2回/年= 41.4億円	想定TAM ^{*1} 日本：41.4億円		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×治療日数想定

パイプライン開発計画（1）

2026年3月期





パイプライン開発計画（2）

2026年3月期

パイプライン		今後の研究開発				契約
バイオ (核酸医薬)	更年期障害	臨床研究 → Ph2				
	パーキンソン病 多系統萎縮症 筋ジストロフィー	非臨床研究				
RS9001	極細内視鏡	承認申請 → 上市 保険償還				HI-LEX medical (ライセンス契約締結済)
プログラム医療機器	呼吸機能 検査診断	疾患モデル → POCモデル 2021/10 MS取得 → 2023/06 MS取得				CHEST チェスト株式会社 (ライセンス契約締結済)
	維持血液透析 医療支援	探索モデル → 事業化モデル 2021/05ニプロ共同研究契約締結 → 2024/03ニプロ共同開発契約締結	臨床試験	ライセンス契約	上市	NIPRO (共同開発契約締結済)
	糖尿病治療 支援	探索モデル → 事業化モデル	臨床試験	ライセンス契約	上市	
	嚥下機能 低下診断	探索モデル → 事業化モデル	臨床試験	ライセンス契約	上市	
診断薬	フェニル ケトン尿症	非臨床研究	臨床試験	ライセンス契約		