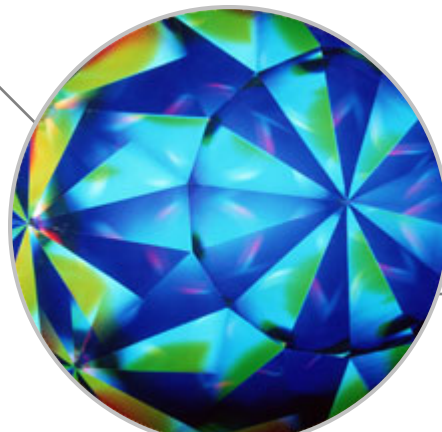
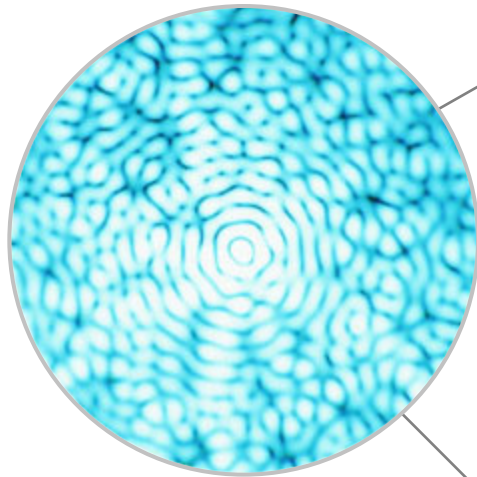
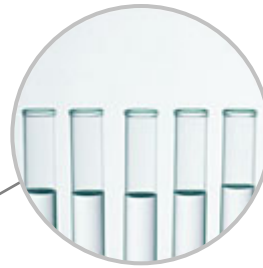




株式会社セルシード 2013年度通期 経営報告資料

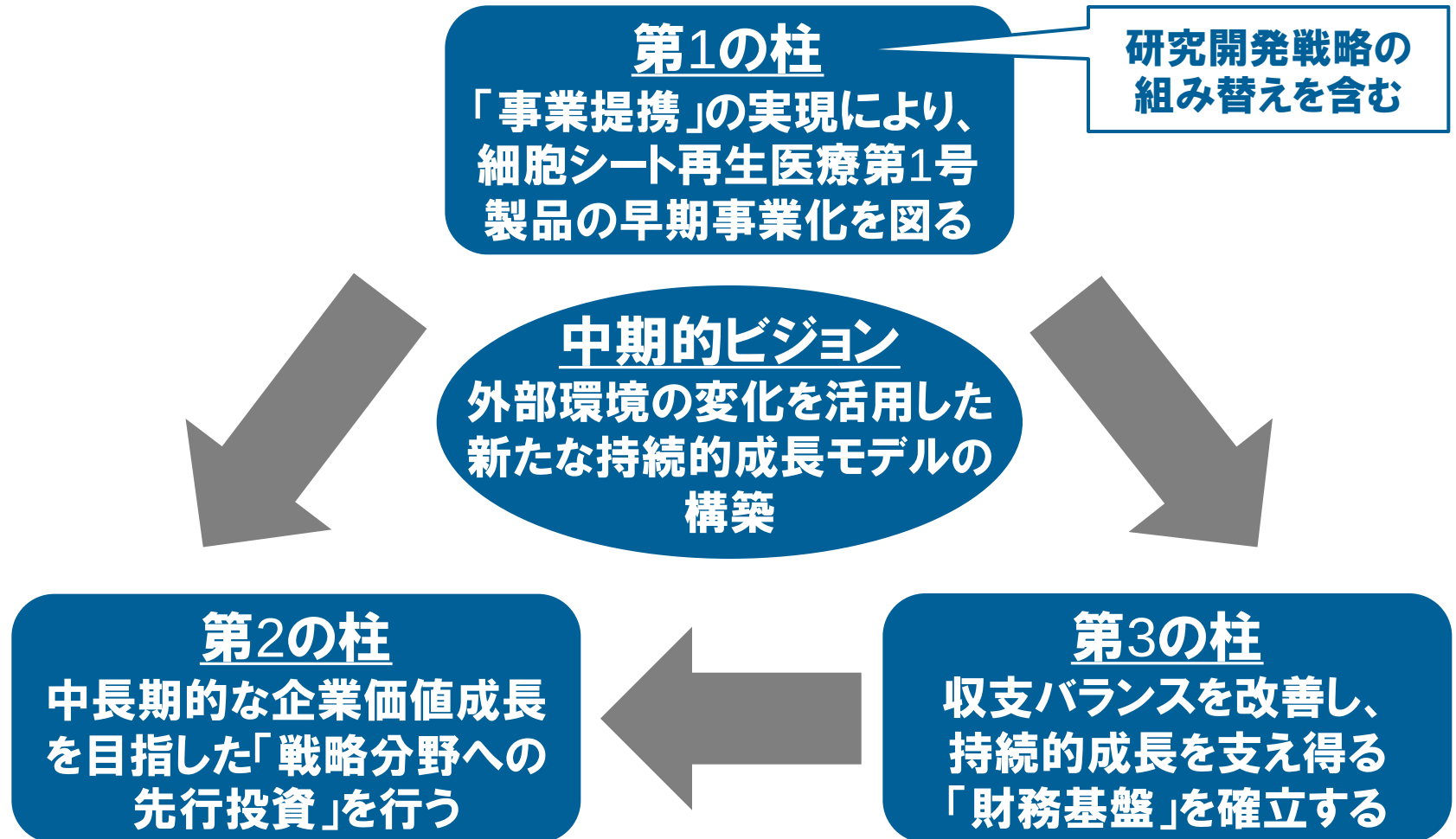
2014年2月20日

■ 2013年度のレビュー

■ 中期経営計画の前提となる環境認識

■ 中期経営計画の概要(2014～2016年度)

昨年2月に発表した中期経営計画(2013～15年度)の概要 : 3つの柱の推進により新しい成長モデルの構築を目指す



第1の柱に関する2013年度の主な進捗①:角膜再生上皮シートに関する開発戦略の組み換え

注目!

日本での環境変化を活用して、世界戦略の組み換えを推進中

● 日本

- 再生医療産業化へ向けた環境整備が急速に進展
 - ◆ 法規制の整備(再生医療推進基本法、改正薬事法、再生医療等安全性確保法)
 - ◆ 研究開発向け公的助成・補助の拡充
 - ◆ 市場創出へ向けた支援
 - ◆ 企業参入の加速化
- これを踏まえて、**当社は日本における開発に重点を置く方針に転換**
- 今後、**事業提携や公的助成・補助など**を活用して開発を推進する(次ページご参照)

● 欧州

- 欧州医薬品庁(EMA)との協議結果及び日本における急速な産業化環境整備などを踏まえて、**開発・事業化計画を組み直す方針を決定(3月)**
 - ◆ EMA宛に提出していた販売承認申請を一旦取り下げ(3月)
 - ◆ その際、将来の販売承認取得可能性は確保
- 現在、**事業提携を活用した事業化を検討中**

● 米国

- Emmaus Medical 社と共同で開発・事業化に取り組んでいる
- なお同社との契約は角膜にフォーカスするため2本を1本に統合する方針(交渉中)

第1の柱に関する2013年度の主な進捗②:角膜再生上皮シートに関する日本での取り組み(経産省委託事業)

注目!

日本で、後続品の参考事例を作りつつ、当社の製品開発も推進

平成25年度「再生医療等産業化促進事業」の趣旨(経済産業省ウェブサイトより抜粋)

我が国の再生医療製品等の優れた技術シーズを製品化させるべく、規制当局の円滑な審査に資することを目指した評価手法の開発

当社受託事業の概要

- 題材となるパイプライン
 - ◆ 自家口腔粘膜上皮細胞シート
 - ◆ 角膜再生上皮シートに関するこれまでの経験・ノウハウを主に活用
- 主な取組項目
 1. 海外再生医療製品薬事審査の実情を踏まえた「**世界標準に向けた角膜再生上皮シートの有効性評価手法**」の開発
 2. これまでの当社経験を踏まえた「**細胞シート生産自動化導入に最適な品質評価方法**」の検証
- 実施期間: 契約締結日～2014年3月31日
- 当社受託事業成果の展開可能性
 - ◆ 上記1の成果は、原料細胞が共通する自家食道再生上皮シートに応用可能
 - ◆ 上記2の成果は、様々なパイプラインの生産自動化(生産コスト低減、品質担保など)に応用可能

第1の柱に関する2013年度の主な進捗②:角膜再生上皮シート経産省委託事業の成果(1/3)

フランス臨床試験における術後12ヶ月経過時の有効性評価基準

評価項目	評価グレード	判定基準
上皮欠損	潰瘍なし或いは軽度の潰瘍、中等度、重度	定性的
点状上皮角膜症	軽度、中等度、重度	定性的
角膜上上皮結膜化	あり、なし	有無のみ
角膜上血管新生	輪部からの細血管侵入数	半定量的
血管活動性	非活動性、より小さい血管、径の異なる血管、径の大きな血管、太い血管	定性的

→ 現時点ではいずれの評価項目も定性的評価であるため、有効性を定量的に判断できる合理的な評価方法の設定が不可欠

本事業では有効性を客観的に評価し得る、下記2技術の妥当性を検証

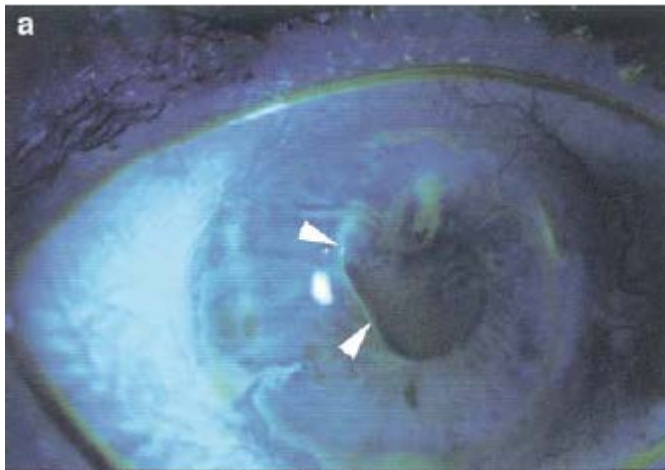
1. 安定した上皮の回復による視軸上の結膜化の減少
2. 角膜血管新生の阻害

第1の柱に関する2013年度の主な進捗②:角膜再生上皮シート経産省委託事業の成果(2/3)

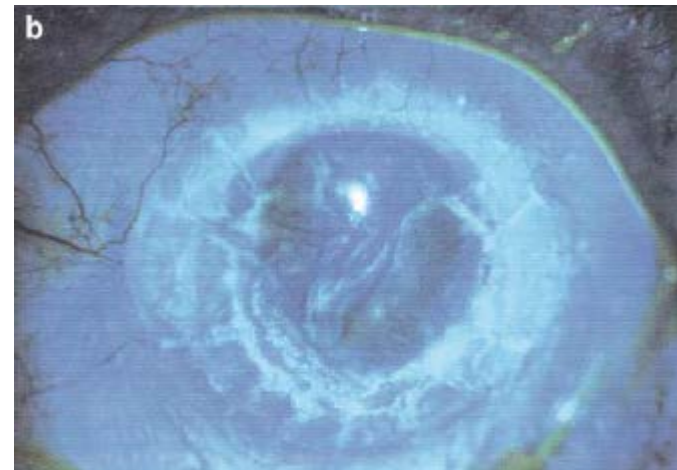
1. 安定した上皮の回復による視軸上の結膜化の減少

→ 術後12ヶ月目にフルオレセイン染色試験を実施し、角膜表面に存在する結膜を画像解析により定量的に解析する(ベースライン:移植直後)

→ 角膜上皮の回復によって得られる結膜化の抑制を、視軸上の結膜化割合を定量することで、有効性の判断基準とする



軽度化学熱傷による部分LSCD患者の結膜化



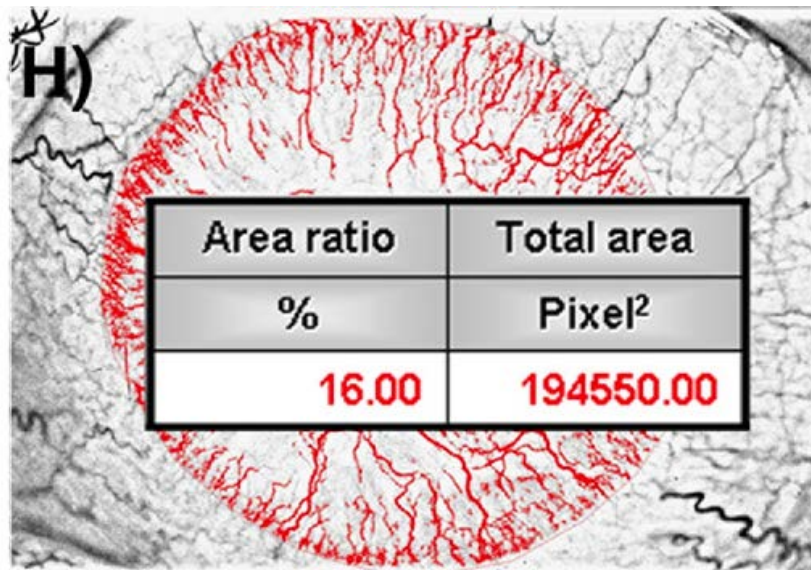
他家角膜移植後のLSCD患者の異常結膜化

第1の柱に関する2013年度の主な進捗②:角膜再生上皮シート経産省委託事業の成果(3/3)

2. 角膜血管新生の阻害

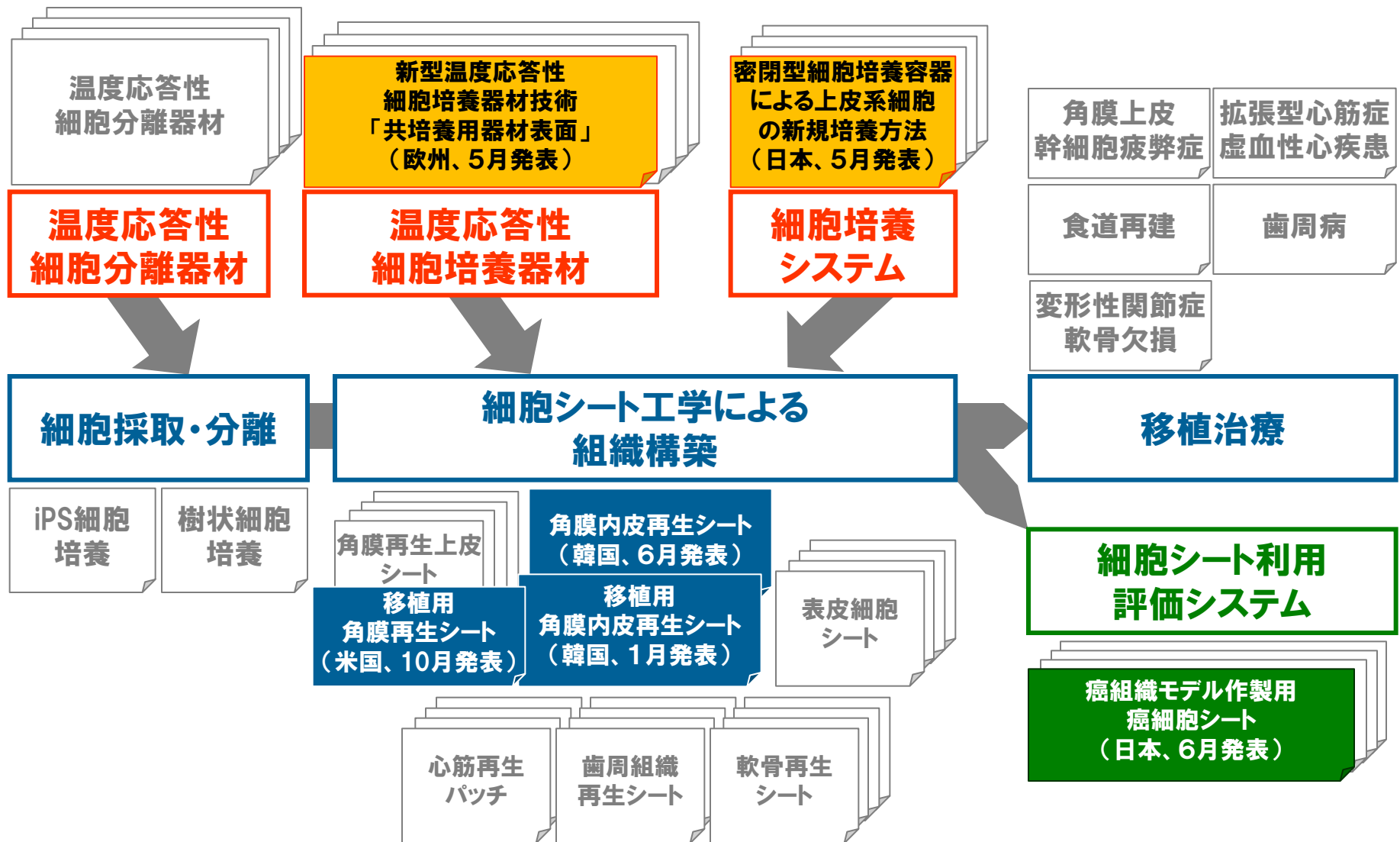
→ 術後12ヶ月目にスリットランプでの検査を行い、観察と共に画像データを収集し、画像解析により定量的に評価する(ベースライン:移植直後)

→ 角膜上皮の回復によって得られる血管新生(侵入)の抑制を、画像解析により検出された角膜上の血管組織面積を定量することで、有効性の判断基準とする



角膜面積に対する血管面積の算出

第2の柱に関する2013年度の主な進捗:出願済み特許の 成立状況(計6件成立)



第3の柱に関する2013年度の主な進捗: 約29億円を調達して、財務諸表におけるGC注記を解消

第9回 新株予約権

- 調達額: 640百万円(2013年度分、全て行使による払い込み)
- 発行株式数: 958,500株(2013年度分)
- 調達時期: 13.1.9～13.2.1(全権行使完了)

第10回 新株予約権

- 調達額: 523百万円(新株予約権発行＋行使による払い込み)
- 発行株式数: 274,000株
- 調達時期: 13.9.2～13.12.16(全権行使完了)

第11回 新株予約権

- 調達額: 1,730百万円(新株予約権発行＋行使による払い込み)
- 発行株式数: 895,000株
- 調達時期: 13.9.2～13.11.15

合計

- 調達額: 2,893百万円
- 発行株式数: 2,127,500株

ご参考: 2014年度行使状況

- 調達額: 859百万円
- 発行株式数: 505,000株
- 14.1.31で全権行使完了

「継続企業の前提に関する注記」の記載を解消
(2013年度3Q決算)

2013年度通期連結業績

単位：百万円	(A) 期初予想	(B) 通期実績	差((B) - (A))
売上高	530	105	-425
(うち再生医療支援事業)	70	88	+18
(うち細胞シート再生医療事業)	460	16	-444
営業損益	△245	△534	-289
(うち再生医療支援事業)	△10	△11	-1
(うち細胞シート再生医療事業)	65	△300	-365
(うち消去又は全社)	△300	△222	+78
経常損益	△215	△581	-366
当期純損益	△230	△584	-354

注目!

販管費を抑制したが、なお提携一時金未獲得分をカバーし切れず

● 売上高の主な差異要因

- 事業提携一時金未獲得(提携交渉継続中) △350百万円
- Emmaus社受領済み一時金の売上高振替未済(契約見直し交渉継続中) △110百万円
- 欧州角膜販売提携解消に伴う受領済み一時金(前受金)の売上高振替 +16百万円
- 再生医療支援事業売上高 +18百万円

● 営業損益の主な差異要因

- 売上高差異 △425百万円(上述の「売上高の主な差異要因」ご参照)
- 販管費抑制 +149百万円

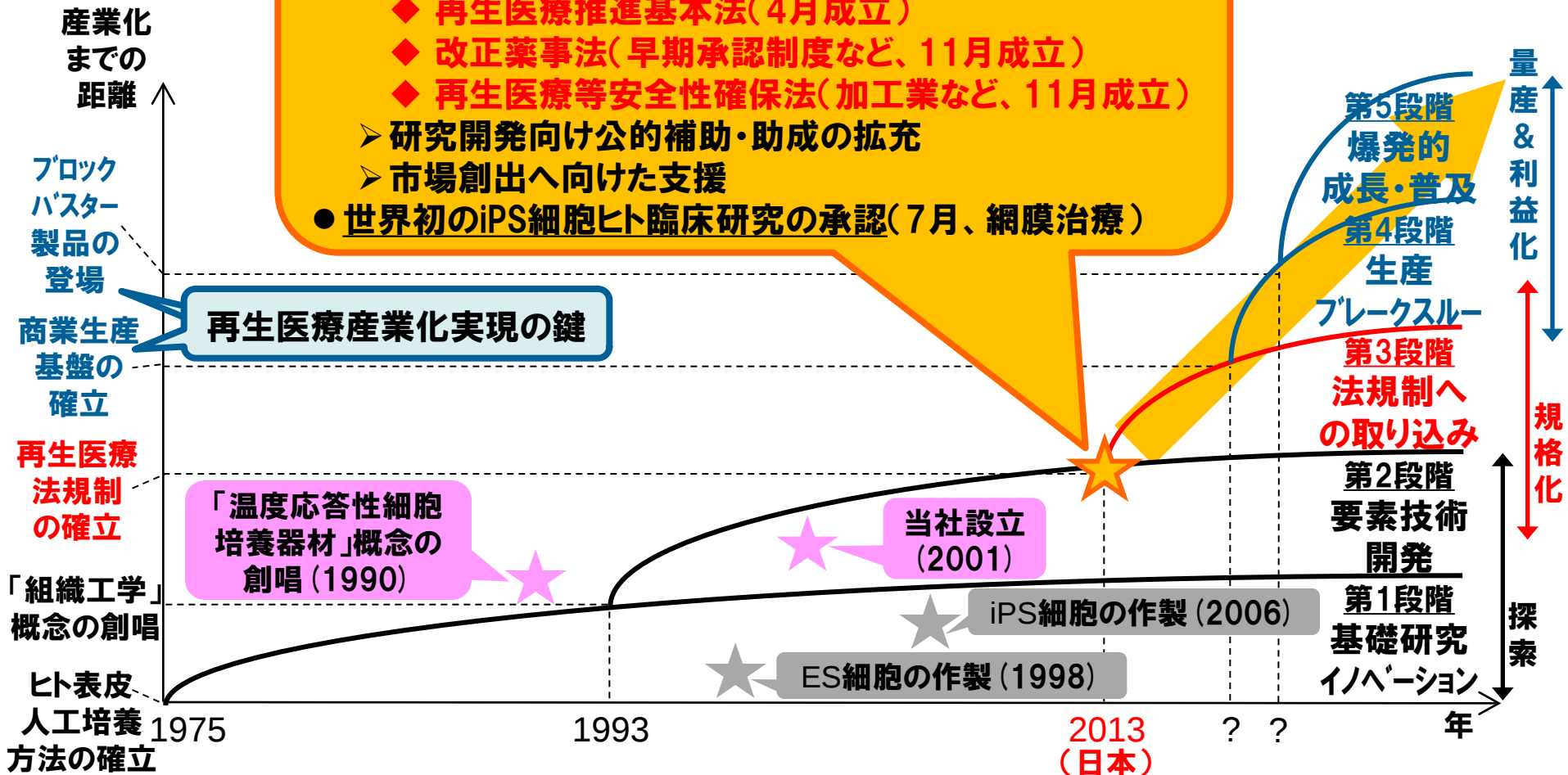
- 2013年度のレビュー

- 中期経営計画の前提となる環境認識**

- 中期経営計画の概要(2014～2016年度)

環境認識①:2013年は日本が再生医療の産業化で世界をリードし始める画期的な年となった

- **日本再興戦略(=アベノミクス成長戦略)**
 - **法規制の整備**
 - ◆ 再生医療推進基本法(4月成立)
 - ◆ 改正薬事法(早期承認制度など、11月成立)
 - ◆ 再生医療等安全性確保法(加工業など、11月成立)
 - 研究開発向け公的補助・助成の拡充
 - 市場創出へ向けた支援
- **世界初のiPS細胞ヒト臨床研究の承認(7月、網膜治療)**



出所: 各種文献検索、首相官邸ウェブサイト、当社仮説 注: 上記イラストはイメージ図であり、イラスト中の間隔・長さ・高さ等は必ずしも厳密に設定されたものではありません

環境認識②:「再生医療産業化」実現のキーワードは3つの“A”(Automation、Allogeneic、Alliance)

再生医療産業化ステージ仮説に基づく
今後のキードライバー(前ページご参照)

● 商業生産基盤の確立

- 生産コストの抜本的低減
- 生産能力の飛躍的増強
- 製品品質の向上・均一化

● ブロックバスター製品の登場

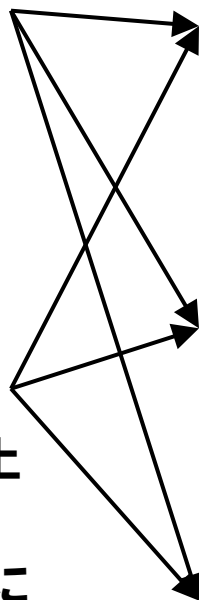
- 大型市場(例:1,000億円以上／年)の戦略的ターゲティング
- オープンイノベーションの活用による差別化&技術課題の解決
- 製品特性に合致した充分量のマーケティング先行投資の投下

再生医療産業化実現のキーワード

● Automation
(生産システムの自動化)

● Allogeneic
(他家細胞原料化の実現)

● Alliance
(産学連携・事業提携による取り組み)



環境認識③:細胞シート工学は「ヒト細胞のみからの組織の人工作製」という課題を原理的に解決した画期的技術

原料の選択・確保

最適な細胞の 選択・確保

主な技術 アプローチ

- 多能性幹細胞の分化誘導
- 様々な幹細胞の分化能の研究

取り組み の現状

- 一般的には患部組織の細胞の採取で対応可能
- ある理由で患部組織から細胞を採取できないケースの対応が課題
- 多能性幹細胞の分化誘導による必要細胞の作製が期待されている

原料の加工・製品化

組織の作製

- 細胞シート工学
- 組織工学
- (再生促進治療)

- 現時点における再生医療最大の技術課題
- 細胞シート工学は「ヒト細胞のみから様々な種類の組織を人工作製する」という課題を原理的に解決

組織の大きさ・形・ 厚みのコントロール

- 細胞シート工学

- 組織作製が出来て初めて取り組むことができる課題
- 細胞シート工学はこの課題を解決する原理(積層化+血管導入)を非臨床研究で示すことに成功

製品の複合化・高機能化

臓器の作製

- (細胞シート工学)
- (多能性幹細胞の分化誘導)

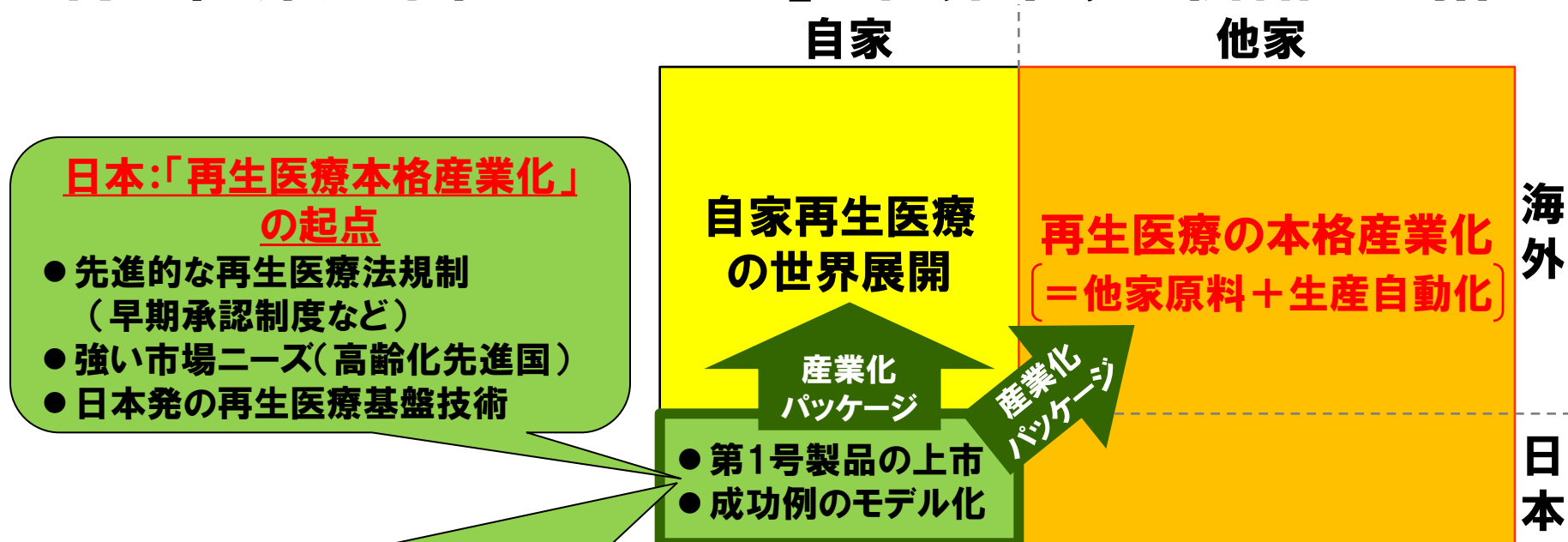
- 組織作製が出来て初めて取り組むことができる課題
- 前提となる組織構築が完成していないため、まだ本格的な取組事例が少ない(例:細胞シート工学に基づく心臓の人工作製)

- 2013年度のレビュー

- 中期経営計画の前提となる環境認識

- 中期経営計画の概要(2014～2016年度)**

再生医療本格産業化へのロードマップ: 日本で開発した「再生医療産業化パッケージ」で世界市場の開拓を目指す



Alliance による技術・ノウハウの結集(CellSeed + 産学連携 + 事業提携)

産学連携共同研究 (イノベーション創出のプラットフォーム)

- 先端シーズの取り込み
 - 前臨床～臨床研究(共同研究先)
 - 温度応答性培養器材の供給(当社)
 - 臨床研究品の受託加工(当社)
- Allogeneic (他家)細胞原料化共同研究
- Automation (生産自動化)共同研究

事業提携を活用した自家製品共同事業化 (「再生医療産業化パッケージ」の構築)

- 専用温度応答性培養器材の開発
- CMC(製品規格・品質管理技術)開発
- 商業自動生産・輸送システムの開発
- 薬事申請用データの構築(臨床、非臨床)
- 薬事承認の取得
- マーケ・販売・PMS体制の構築

中期経営計画(2014～16年度)の概要: 昨年2月に発表した中期経営計画の「3つの柱」を拡充した内容

第1の柱

「事業提携」の実現により、
細胞シート再生医療第1号
製品の事業化を図る

第2の柱

中長期的な企業価値成長
を目指した「戦略分野への
先行投資」を行う

中期的ビジョン

外部環境の変化を活用した
新たな持続的成長モデルの
構築

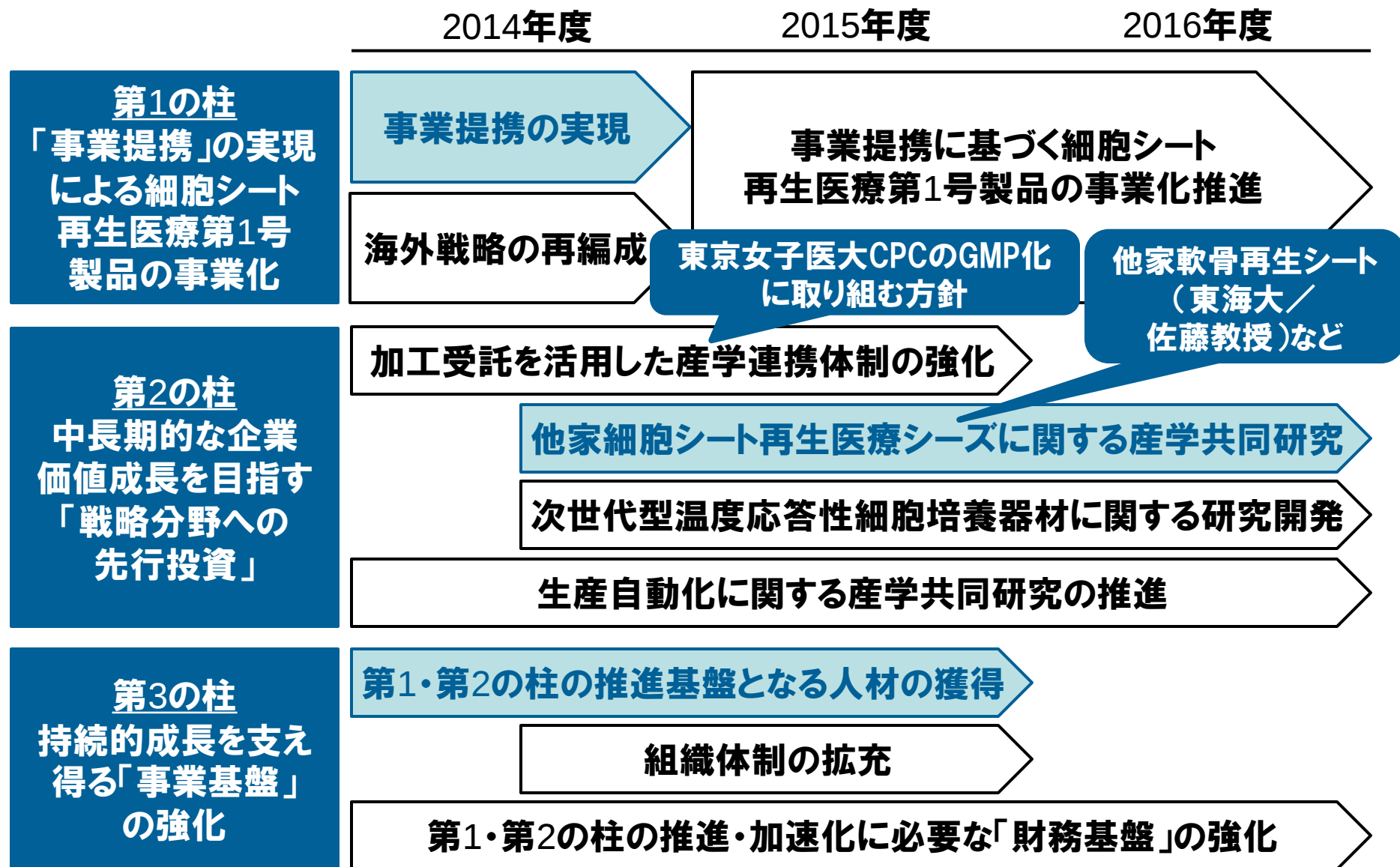
第3の柱

持続的成長を支え得る
「事業基盤」を強化する

戦略的意図

- 日本の法規制整備によって生じる新しい事業機会（早期承認制度など）の活用
- 事業化に至る先行投資負担の軽減
- 当社が比較優位を持たない経営資源（機能、スキル、技術の補完）

中期経営計画における主要取組項目:「事業提携の実現」、 「他家研究の開始」、「人材の獲得」の3つが鍵



今回公表した業績予想・中期損益目標数値に関する考え方

	売上高		営業利益		
	再生医療 支援事業	細胞シート 再生医療 事業	再生医療 支援事業	細胞シート 再生医療 事業	消去又は 全社
	百万円	百万円	百万円	百万円	百万円
平成26年12月期	75		△40		
平成27年12月期	80		△35		
平成28年12月期	85		△45		

数値公表に関する考え方

- 下記2点を勘案して、今期は細胞シート再生医療事業セグメントの予想・計画数値の公表を控えることとした
 - 現在推進中の事業提携交渉における条件交渉の阻害要因となる可能性
 - 研究開発費に関する不確定要素(事業提携の内容に応じて研究開発活動計画が変わる可能性)
- 上記の措置に伴って、全社の計画・予想数値の公表も控えることとした
- 従って、今回は再生医療支援事業セグメントの計画・予想数値のみを公表している

再生医療支援事業の予想・計画数値に関する前提条件

- 再生医療関連研究開発需要の高まりを想定して、平成27年12月期以降前年度比+5%程度の売上高増加を計画

有難うございました

- ・本資料には、将来の業績に関わる記述が含まれております。
こうした記述は、将来の業績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。
- ・本資料は当社をご理解いただくために作成されたもので、当社への投資勧誘を目的としておりません。
- ・本資料を作成するに当たっては正確性を期すために慎重に行っておりますが、完全性を保証するものではありません。本資料中の情報によって生じた障害や損害については、当社は一切責任を負いかねます。

お問い合わせ先: 当社ホームページIRお問い合わせ

<http://www.cellseed.com/ir/inquiries.html>