

株式会社ジーンテクノサイエンス

2021年3月期 第1四半期 決算補足説明資料

2020年8月6日

注意事項

この資料は株式会社ジーンテクノサイエンス（以下、当社という）をご理解いただくために作成されたものであり、投資勧誘を目的として作成されたものではありません。

この資料に含まれている今後の戦略・計画、将来の見通し及びその他将来の事象等に関する記載には、本資料の発表時点において合理的に入手可能な情報に基づく当社の仮定、見込み等が含まれます。そのため、実際の業績、開発進捗等は、今後の研究開発の成否や将来における当局の対応、事業パートナーの状況等、現時点では不明又は未確定な要因によって、本資料の記載とは異なる結果となる可能性があります。



2021年3月期 第1四半期 業績ハイライト

2021年3月期 第1四半期業績ハイライト

業績ハイライト

◆2021年3月期 第1四半期の実績

- ✓ 第1四半期の売上高は年間計画通り
- ✓ 研究開発は順調に進捗
- ✓ 新型コロナウイルス感染症の拡大に伴う業績への影響はない

2021年3月期 第1四半期業績・連結

◆ 2021年3月期 第1四半期業績（2020年4月1日～2020年6月30日）

| | 売上高 (百万円) | 販売費及び一般管理費 合計 | 内 研究開発費 | 営業利益 (百万円) | 経常利益 (百万円) | 親会社株主に 帰属する 四半期純利益 (百万円) | 1株当たり 四半期純利益 (円) |
|---------------------|--------------|------------------|---------|---------------|---------------|-----------------------------------|------------------------|
| 連結 | | | | | | | |
| 2021年3月期 第1四半期 実績 | 121 | 354 | 138 | △237 | △244 | △244 | △8.72 |
| (参考) 2021年3月期 業績予想値 | 972 | | 1,720 | △1,672 | △1,688 | △1,691 | |

主なポイント

- ・ フィルグラスチムバイオシミラーは、納品スケジュールの関係上、計上無し
- ・ 開発進捗に伴うマイルストーン及びロイヤリティ等の収益を含む

- ・ 研究開発費は主にバイオシミラー事業の推進に支出
- ・ 研究開発は順調に進捗



2021年3月期 第1四半期 事業ハイライト

2021年3月期 第1四半期 事業ハイライト

新規バイオ

(再生医療／細胞治療)

- ・ 東京大学医学部附属病院との連携による歯髄幹細胞製造の原料となる乳歯を提供頂くための臨床研究開始

歯髄細胞バンク 培養上清

- ・ 同仁グループとの連携強化による新たな歯髄幹細胞事業体制の構築に関するお知らせ

バイオシミラー

- ・ 長春長生生物科技有限责任公司とのアダリムマブバイオ後続品の共同事業化の提携解消

バイオ新薬

- ・ 抗ヒト $\alpha 9$ インテグリン抗体の開発および製造・販売権に関するライセンス契約解約



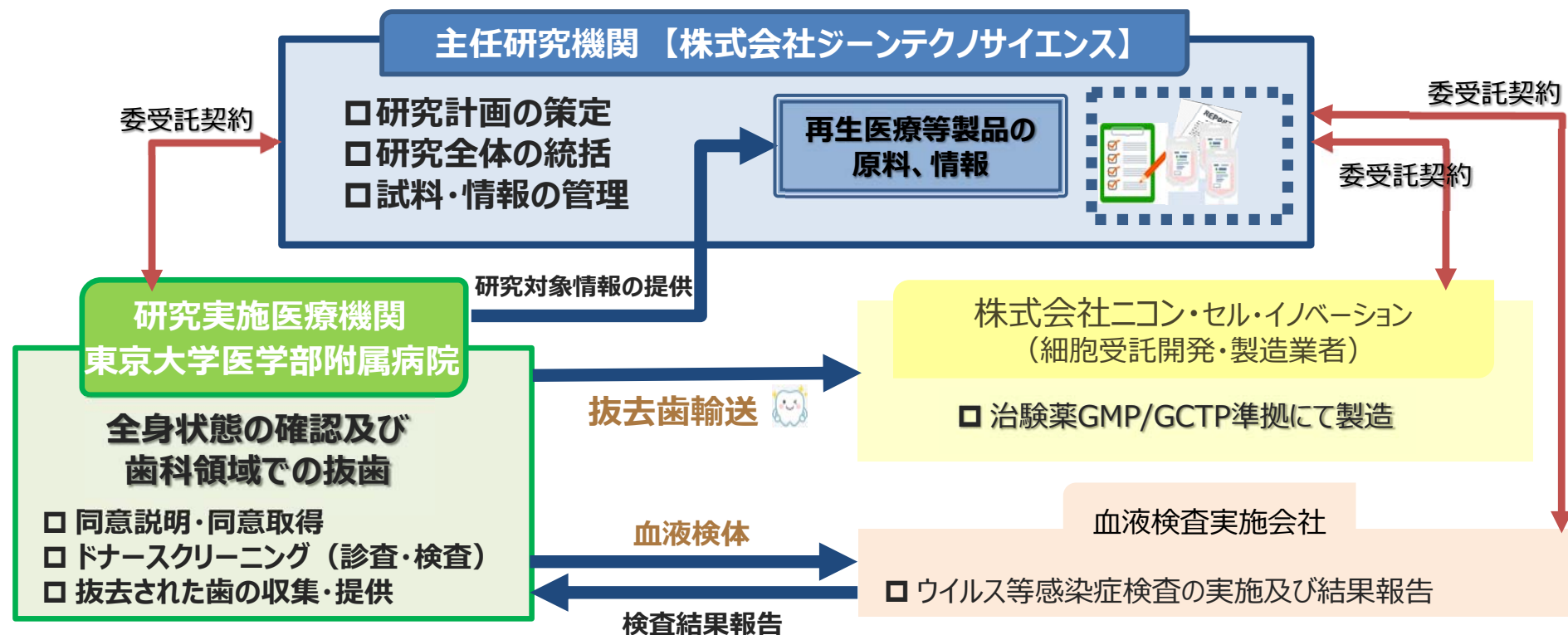
東京大学医学部附属病院との連携による臨床 研究開始

東京大学医学部附属病院との連携による臨床研究開始

- 本年3月までに歯髄幹細胞マスターセルバンクの製造法を確立したが、再生医療等製品の原料としてドナーから乳歯を提供頂くには、経済産業省「ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイダンス¹⁾」に沿い、以下の点に配慮した提供体制を構築する必要がある。
 - 1) <https://www.meti.go.jp/press/2019/03/20200303004/20200303004-1.pdf>（2020年3月発表）
 - 倫理委員会での審査
 - ドナー（小児）対応 募集/選定、本人/代諾者への同意取得
健康状態の確認（感染症等検査を含む）
 - 乳歯の採取、一時保管
 - 個人情報を含む情報管理
 - 採取機関から製造施設への乳歯の輸送
- 上記の対応には、ドナー対応実績のある臨床研究推進センターを有し、医科/歯科両診療科がある病院との連携が必須な為、当社と東大病院との連携による臨床研究の実施について協議を重ね、合意に至った。
- 本臨床研究は、再生医療等製品原料としての乳歯の安定供給可能な**日本初の**体制を構築する事を目的とする。

実施体制

東大病院と連携した日本初の再生医療等製品原料としての乳歯の供給体制



更に、今後は

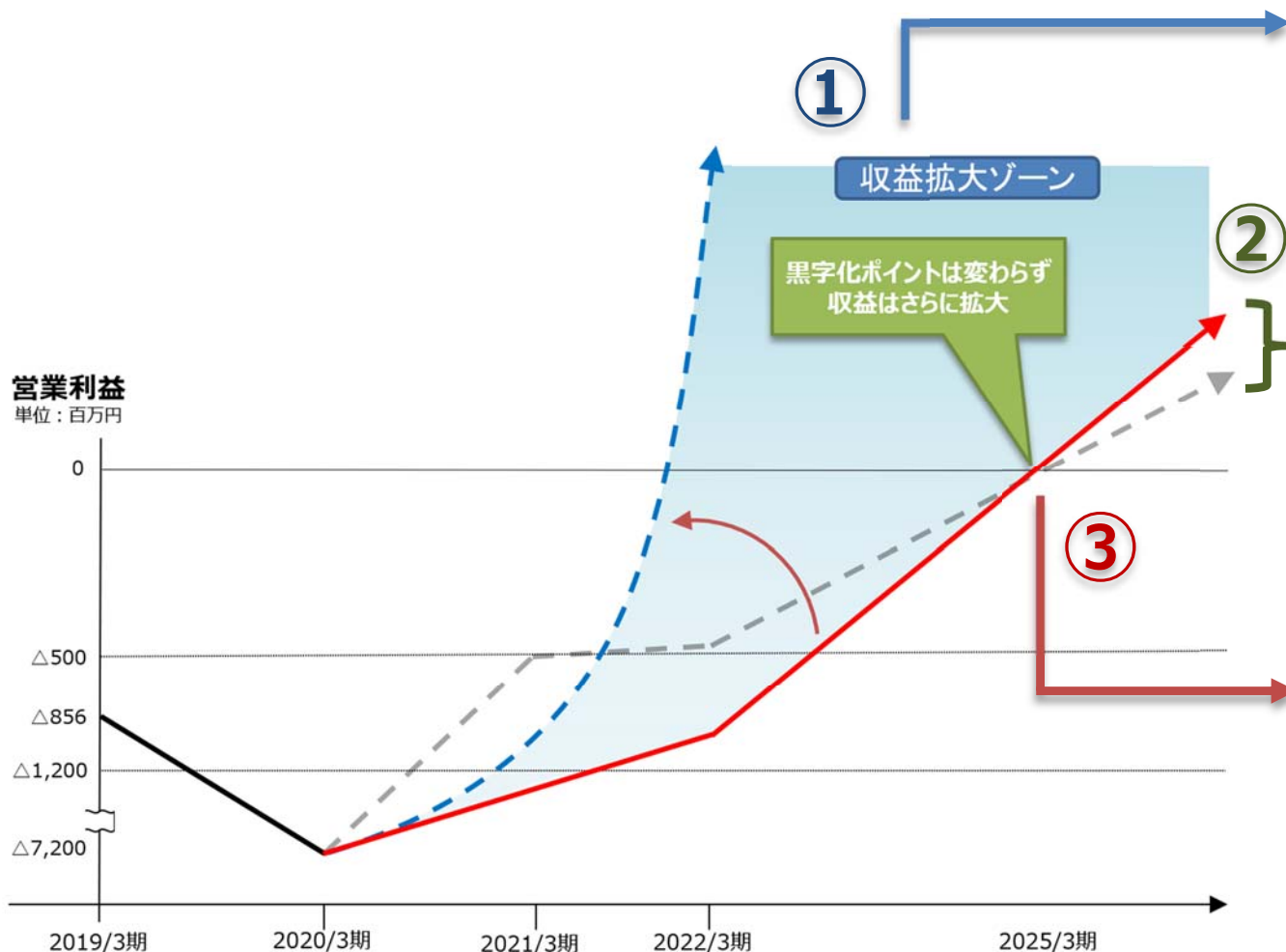
- 今回の取り組みを各地の病院への展開すると同時に、意義を広く理解頂き、社会的受容性を高める事により、安定的な乳歯の供給体制を構築する。
- 本取り組みを継続する事により、将来の歯髄幹細胞を用いた再生医療等製品の安全で、安定的な供給に繋げる。



GTS3.0 成長戦略

GTS3.0 ロードマップ

**ロードマップの進捗は順調
着実かつ早期の両面から黒字化を目指す**



① 成長性の追求

新規バイオ事業及びバイオ新薬事業に伴う契約一時金、開発マイルストーンでアップサイドを追求
2022～2025年度での前倒し黒字化の可能性を高める

② 黒字化幅の拡大

2025年以降、JRM-001の売上が収益の拡大に貢献

JRM-001のポテンシャル

- ✓ 対象患者数（国内） 500人
- ✓ 参考：代替治療法の薬価 約18百万円／人

③ 着実な黒字化

BS事業の売上のみでも2025年の黒字化を達成
GBS-001、011、007

歯髄細胞バンク・培養上清
同仁グループとの事業提携により拡大

GTS3.0 事業ポートフォリオ



成長性



黒字化幅拡大



黒字化実現

歯髄幹細胞

ORTHOREBIRTH
口唇口蓋裂

持田製薬
腸管神経節細胞僅少症

昭和大学
骨関連

東京都医学総合研究所
名古屋大学
東京医科歯科大学
4者共同研究
脳性まひ

岐阜薬科大学
眼関連

大分大学
末梢神経麻痺

名古屋大学
脊髄損傷

心臓内幹細胞

JRM-001
左心低形成症候群／
機能的単心室症

業務提携

ニコン

昭和大学
産学連携

住商ファーマ

アイル

同仁

SOLA

chromo-
center

GPC

バイオシミラー

GBS-001
がん

GBS-007
眼疾患

GBS-011
腎疾患

GBS-004
がん

GBS-008
感染症

癸巳化成
GBS-012
眼疾患

GBS-005
免疫疾患

GBS-010
がん

新規抗体・製造法開発

GND-004
眼疾患

札幌医科大学
がん

GND-007
免疫疾患

MabGenesis
がん

再生医療

抗体医薬品

新規バイオ事業：歯髄幹細胞プロジェクト

ORTHOREBIRTH

口唇口蓋裂

小児

症状： 摂食、言語障害
治療法： 口唇形成術＋腸骨移植
患者数： 新生児 2,000人/年
治療目標： 顎骨再生

持田製薬

腸管神経節細胞僅少症

小児

症状： 腸閉塞（死亡率 22%）
（腸管蠕動運動不全）
治療法： 腸管切除、人工肛門造設
患者数： 100人（指定難病101）
治療目標： 神経節再生

昭和大学

骨関連

岐阜薬科大学

眼関連

東京都医学総合研究所、名古屋大学、東京医科歯科大学

脳性まひ

小児

症状： 四肢麻痺
治療法： 未確立
患者数： 新生児 2,000人/年
治療目標： 神経、血管再生

名古屋大学

脊髄損傷

症状： 運動機能/感覚知覚機能 損失
治療法： 未確立
患者数： 5,000人/年、10万人
治療目標： 神経再生

大分大学

末梢神経麻痺

症状： 運動・感覚機能障害
治療法： 神経再建術
患者数： 8,000手術/年
治療目標： 末梢神経再生

Challenge GTS3.0


バイオ新薬：新たな抗がん剤の開発（札幌医科大学）

2020年1月6日公表

札幌医科大学

副作用が少なく、幅広い患者様可以使用できる**優れたがん治療薬**の開発

■ 主ながん治療薬

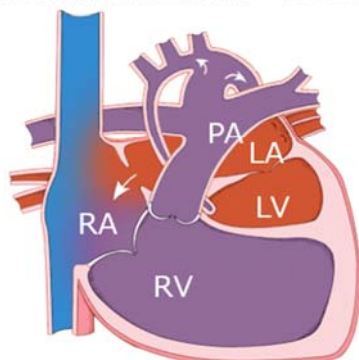
| | |
|---|--|
| ① 化学療法剤 | がん細胞に対する 殺傷能力に優れる 一方、がん細胞のみならず 正常細胞にも影響が及びやすい（副作用） |
| ② 抗体医薬 | がん細胞を 狙い撃つことができる が、患者様自身の免疫機能を使ってがん細胞を攻撃するため、 免疫力が落ちた状態の患者様は治療できない、もしくは効果が見込めない |
| ③ 抗体薬物複合体 (Antibody-drug conjugates) | <p>がん細胞内に侵入し、殺傷効果を発揮し、正常細胞への影響はない ①と②の強みを組み合わせた優れた治療薬</p>  <p>低分子薬剤や細胞障害性タンパク質を結合させた抗体</p> <p>がん細胞</p> <p>がん細胞特異的に結合</p> <p>細胞内に侵入</p> <p>がん細胞は死滅</p> |

■ 課題 がん細胞内に侵入することが出来る抗体を見つけることは困難

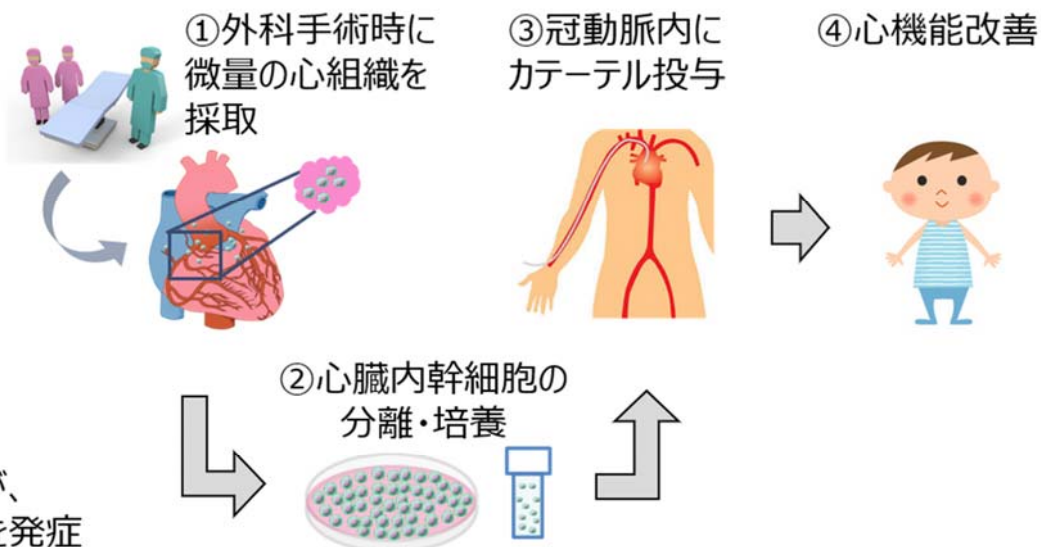
札幌医科大学は独自スクリーニング技術を用いて、この抗体を保有している。
この抗体とGTSの抗体製造技術を組み合わせて新しい治療薬の創出を目指す。

新規バイオ事業：JRM-001（心臓内幹細胞）

代表的な機能的単心室症
左心低形成症候群（HLHS）



一般的な治療方法は外科手術だが、
予後頻繁に心機能低下や心不全を発症



心臓内幹細胞 Cardiac Stem Cells (CSCs)

- ・ 造腫瘍性が低く**安全性が高い**。
- ・ 様々な細胞種に分化する能力の他、**心機能再生に寄与すると考えられる因子を分泌**する能力を持つ。

小児先天性心疾患 （機能的単心室症）

- ・ 発症者数は国内推定で**年間400～500名**程度。
- ・ 代表的な機能的単心室症として**左心低形成症候群(HLHS)**が知られる。

JRM-001

- ・ **手術後の心機能改善**を目指した細胞治療法。
- ・ 現在、**検証的治験**を実施中。
- ・ 「**先駆け審査指定制度**」対象品目に指定。

- ① 自家向けのJRM-001を着実に上市
- ② 他家向け細胞治療へ拡大
- ③ 海外展開

GTSが目指す事業の方向性

**GTS
3.0**

バイオで価値を創造する
エンジニアリングカンパニー

治療法が不十分な疾患に対する
医療を提供し、新しい領域を開拓する

— 患者、家族、介護者を含め、包括的なケアを目指して —



GTSの注力領域

- ❖ 小児疾患（若年性疾患含む）
- ❖ 希少疾患
- ❖ 難病
- ❖ アジアの疾患

新規バイオ事業（再生医療／細胞治療）による新しい治療法の創出



パイプライン

| 開発番号 | 対象疾患 | 開発研究 | 臨床試験（治験） | | 申請・審査 承認・上市 | 提携先 |
|-------------------------------|------|------|----------|-----|----------------|---|
| | | | 第1相 | 第3相 | | |
| GBS-001 フィルグラスチム | がん | | | | | 富士製薬工業(株) 持田製薬(株) |
| GBS-004 ペバシズマブ | がん | | | | | |
| GBS-005 アダリムマブ | 免疫疾患 | | | | | |
| GBS-007 ラニビズマブ | 眼疾患 | | | | | 千寿製薬(株) Ocumension Therapeuticsへ導出（中国 及び台湾） |
| GBS-008 パリビズマブ | 感染症 | | | | | |
| GBS-010 ベグフィルグラスチム | がん | | | | | |
| GBS-011 ダルベポエチンアルファ | 腎疾患 | | | | | (株)三和化学研究所 |
| GBS-012 アフリベルセプト | 眼疾患 | | | | | 癸巳化成(株) |

| 開発番号 | 対象疾患 | 基礎研究 | 開発研究 | 臨床試験（治験） | | | 申請・審査 承認・上市 | 提携先 |
|----------------------------|---------|------|------|----------|-----|-----|----------------|---------------|
| | | | | 第1相 | 第2相 | 第3相 | | |
| GND-004 抗RAMP2抗体 | 眼科疾患、がん | | | | | | | 導出活動中 |
| GND-007 | 免疫疾患 | | | | | | | |
| 新規抗体 | がん | | | | | | | 札幌医科大学 |
| | がん | | | | | | | MabGenesis(株) |

新規バイオ事業（再生医療／細胞治療）

| 開発番号 | 対象疾患 | 基礎研究 | 臨床試験 (治験) | 条件・期限 付き承認※ | 市販 (市販後に有効性、 更なる安全性を検証) | 承認 | 継続して 販売 | 共同研究企業・大学等 |
|--------|---------|------------|--------------|----------------|-------------------------------|----|------------|--|
| 心臓内幹細胞 | JRM-001 | 心機能の改善 | | | | | | (株)日本再生医療 |
| | GCT-101 | 口唇口蓋裂 | | | | | | ORTHOREBIRTH(株) |
| 歯髄幹細胞 | GCT-102 | 腸管神経節細胞僅少症 | | | | | | 持田製薬(株) |
| | | 骨関連 | | | | | | 昭和大学 |
| | | 眼関連 | | | | | | 岐阜薬科大学 |
| | | 脳性まひ | | | | | | 東京都医学総合研究所 名古屋大学医学部附属病院 東京医科歯科大学 |
| | | 末梢神経麻痺 | | | | | | 大分大学 |
| | | 脊髄損傷 | | | | | | 名古屋大学 |
| | | | | | | | | |

※再生医療等製品の早期実用化に対応した承認制度
患者にリスクを説明・同意を得て、先行して使用し、市販後の安全対策を講じる。

株式会社ジーンテクノサイエンス



バイオで価値を創造するエンジニアリングカンパニー