



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

– Challenge GTS3.0 –

個人投資家説明会資料



- 1. 会社概要**
- 2. バイオ医薬品とは**
- 3. GTSの特長・強み**
- 4. 財務状況**
- 5. 今後の成長戦略**
- 6. 最後に**
(参考資料)



1. 会社概要

企業理念

当社は、大学発ベンチャーであることの公共性に準じ、利益の追求に留まらず、希少疾患や難治性疾患を対象とする医薬品開発により、人々のクオリティ・オブ・ライフを向上させ、社会に貢献することを経営理念に掲げ、より豊かな医療環境及び社会環境の実現に貢献すべく、企業活動を推進しております。



① バイオ新薬研究

- 高度なバイオテクノロジーを活用して新薬を開発



② バイオシミラー開発

- バイオ新薬の後続品（ジェネリック）を開発



③ 新規バイオ事業 （再生医療）

- 再生医療分野を軸に新しいバイオ技術を開発

会社概要	設 立	2001年3月		
	上 場	2012年11月（東証マザーズ）		
	資 本 金	337百万円（2018年11月30日現在）		
	所 在 地	本社	札幌市中央区北二条西9丁目1番地	
		東京事務所	東京都中央区日本橋二丁目10番8号	
研究所		札幌市北区北21条西11丁目（北海道大学内）		
従 業 員 数	22名（本社5名、東京事務所13名、研究所4名）			
経営体制	取 締 役	代表取締役社長	谷 匡治	
		取締役	野口 亮	
		社外取締役	栄木 憲和	
	執 行 役 員	事業開発本部長	坂部 宗親	
		研究開発本部長	川上 雅之	
		経営管理本部長	上野 昌邦	
		経営企画部長	栄 靖雄	
主要株主	ノーリツ鋼機株式会社（親会社）			
	ナノキャリア株式会社、JSR株式会社、千寿製薬株式会社、伊藤忠ケミカルフロンティア株式会社			



- ✓ 北海道大学発のベンチャーとして起業
- ✓ バイオの基礎技術の獲得

- ✓ バイオシミラー 1 製品を販売開始
- ✓ 東証マザーズ上場

- ✓ これまでに蓄積したバイオ技術で駆使して新たな価値をエンジニアリング



2. バイオ医薬品とは

医薬品の主な分類



医療用医薬品

一般用医薬品
(OTC医薬品)

従来
の
医薬品

バイオ
医薬品

先発
医薬品

ジェネリック

バイオ
先行品

バイオ
シミラー

(新薬)

(後発品)

(新薬)

(後続品)

バイオ医薬品とは

- 遺伝子組換えや細胞融合などの高度なバイオテクノロジーを活用して作られた医薬品の総称
- 元々人間の体内にあるタンパク質（ホルモン、酵素、抗体等）を使って薬を作るため、からだに優しく、がん等の難病に対して治療効果が期待できる

ウィルス性肝炎の治療薬 インターフェロン

肝炎ウィルス細胞に作用し、増殖を防ぐ効果がある。



糖尿病の治療薬 インスリン

血糖値を下げる働きがあることから、糖尿病患者の治療などに用いられている。



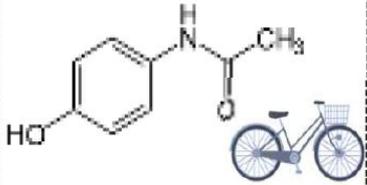
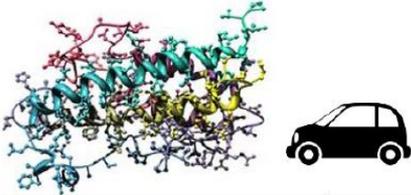
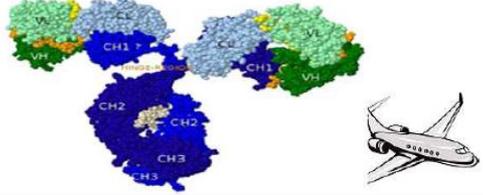
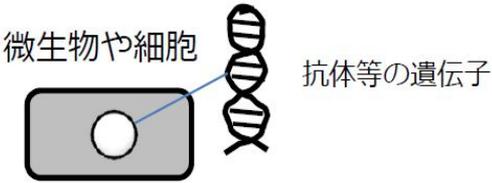
顆粒球増殖因子製剤G-CSF 当社開発品

がん化学療法(抗がん剤投与)を行った後、白血球が減少し免疫力が低下する症状が出るが、この白血球を増殖するための製剤。



バイオ医薬品と従来の医薬品(低分子医薬品)の違い

- 化学合成にて作る従来の医薬品（決まった形がある）に比べて、バイオ医薬品は微生物・細胞などの生物がつくりだすものがもとになるため、その構造は非常に複雑

	従来の医薬品	バイオ医薬品	
大きさ (分子量)	100~	約1万~ (ホルモン等)	約10万~ (抗体)
大きさ・複雑さ (イメージ)			
製造法 (イメージ)	化学合成 	微生物や細胞の中で合成 	
生産	安定	不安定（微生物や細胞の状態で生産物が変わり得る）	

出典：厚生労働省 医薬品産業強化戦略～グローバル展開を見据えた創薬～ 平成27年9月4日

バイオ医薬品と従来の医薬品(低分子医薬品)の違い

製造イメージ

- ▶ 低分子医薬品は決まった製法に沿えば製造できるが、バイオ医薬品は遺伝子組み換え技術・細胞培養技術を活用するため、その製造は困難

低分子医薬品

例：料理



バイオ医薬品

例：酒造



バイオシミラーとは

- 新薬として承認を受けた先行品と同等・同質の有効性、安全性を有することが動物試験・臨床試験で確認された医薬品
- バイオシミラー（後続品）を開発する場合、バイオ医薬品は大腸菌や培養細胞など生物が生み出すものを主な原材料としているため、先行品と全く同じものを作ることは出来ない
- 一般的なジェネリックは、先発医薬品と同じ構造であれば、臨床試験を必要としないが、バイオシミラーは新薬並みの臨床試験が求められる（＝確かな有効性と安全性を保証）

新薬



新薬の申請資料には、製法・品質・臨床試験について7種の資料を提出しなければなりません。

後発医薬品



後発医薬品の場合、約3種類の提出で申請が完了します。

バイオシミラー



バイオシミラーの申請資料には、新薬とほぼ同等の資料を提出する必要があります。



3. GTSの特長・強み

安定と成長

①ハイブリッド事業体制

リスク少なく
着実な開発

②バーチャル型の事業開発

豊富な経験で
多彩な開発

③プロジェクトマネージメント力

①ハイブリッド事業体制

バイオシミラー・バイオ新薬・新規バイオ事業 を加えたハイブリッド事業体制

バイオシミラー事業

- ・原薬の開発と供給
- ・製薬企業とのアライアンス

事業安定化と早期収益化を図る



バイオ新薬事業

- ・抗体医薬を中心とした研究開発
- ・北海道大学創成研究機構に研究所

高い成長性を目指す

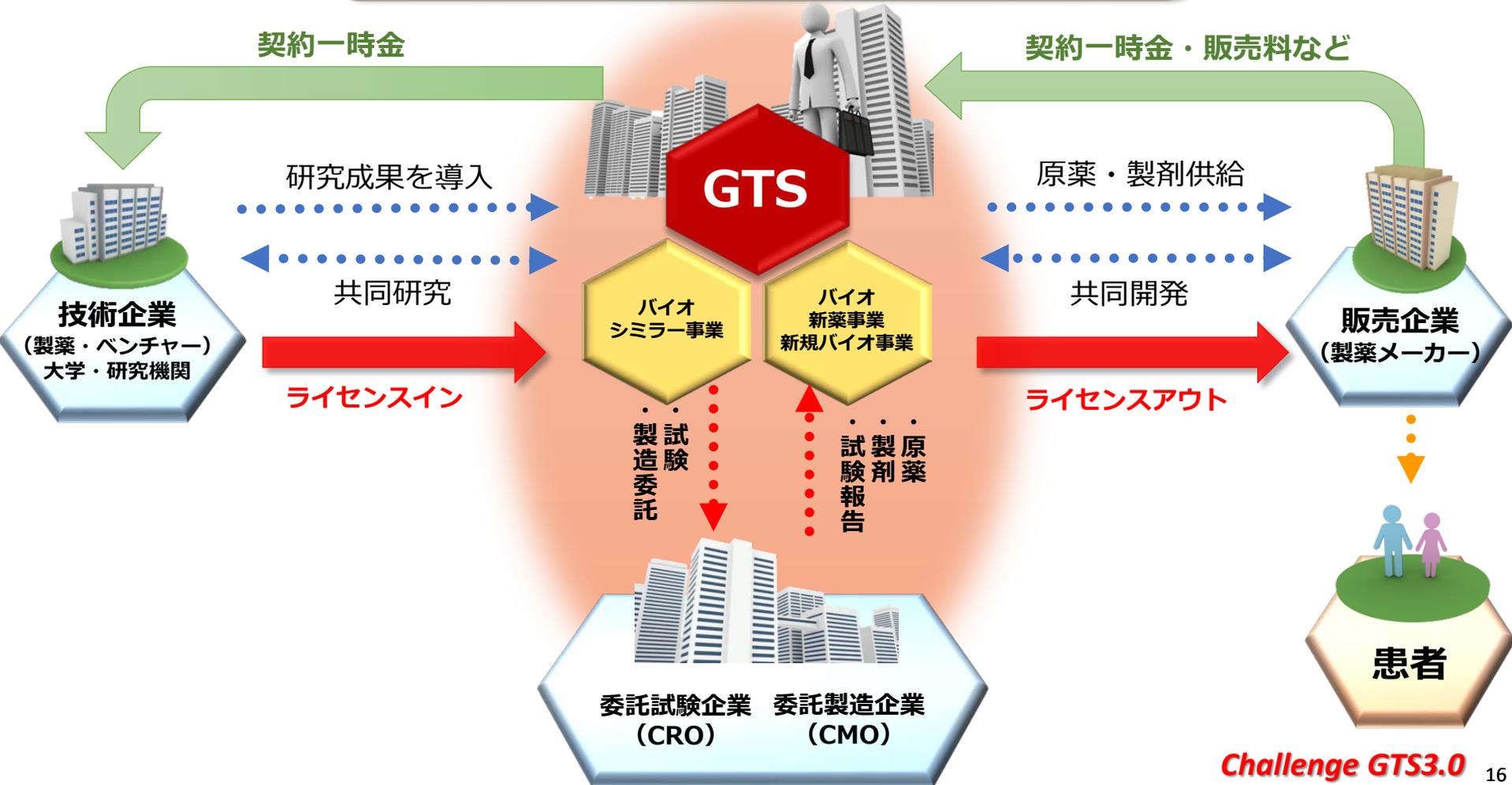


新規バイオ事業 (再生医療)

②バーチャル型の事業開発

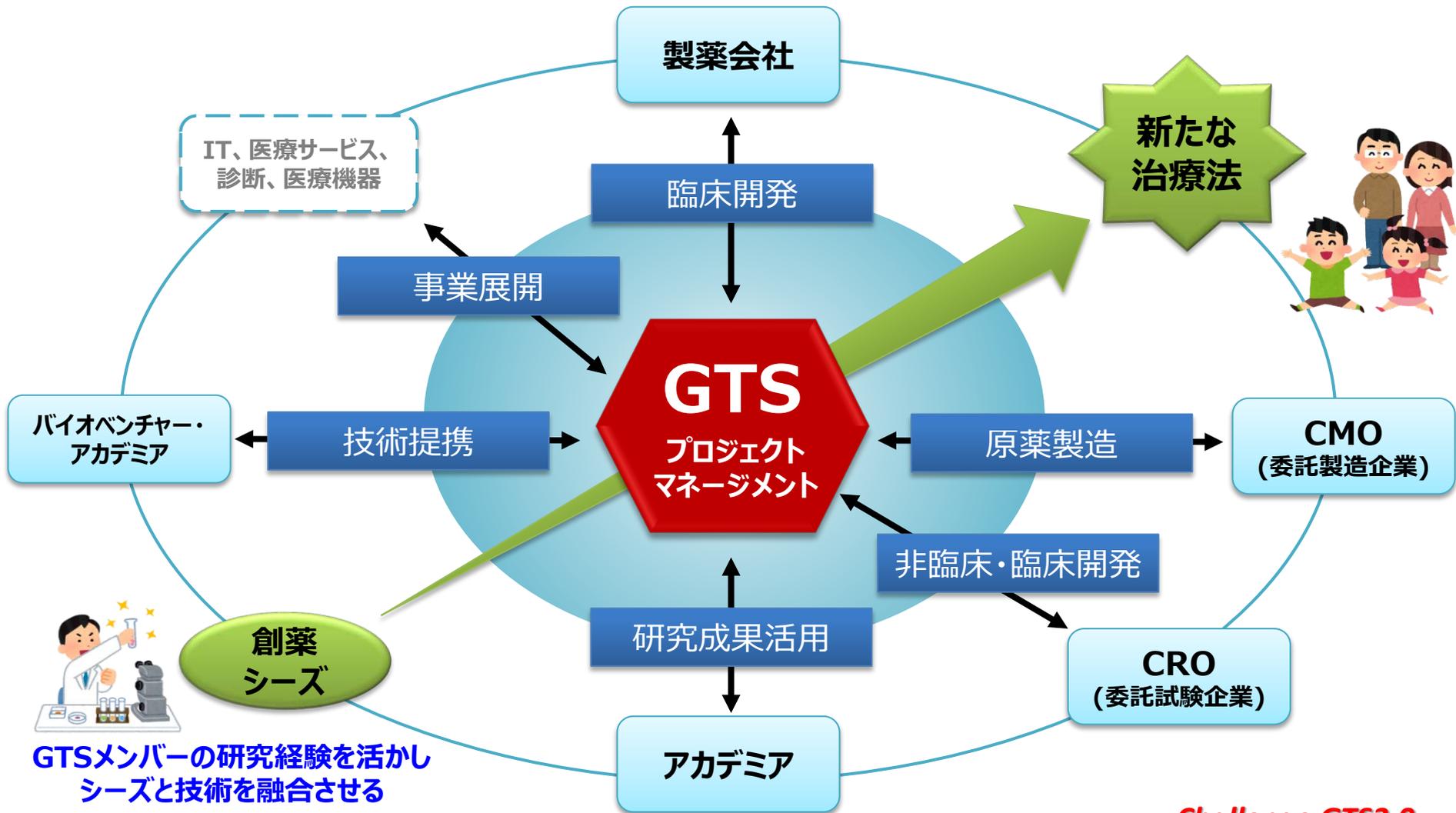
バーチャル型事業体制の特長

- 1) 融通性：プロジェクト毎に最適な協働体制を構築
- 2) 迅速性：プロジェクト開始・計画変更等に迅速に対応
- 3) 投資リスク：製造設備など多額の設備投資を回避



③プロジェクトマネージメント力

➤ これまでの事業経験からプロジェクト毎に最適な体制を構築し、価値の最大化を図る



GTSメンバーの研究経験を活かし
シーズと技術を融合させる

収益化までの道のり

1 基礎研究・開発研究

- ・新規シーズ探索
- ・研究開発費の投資が先行
- ・製薬企業等との共同研究

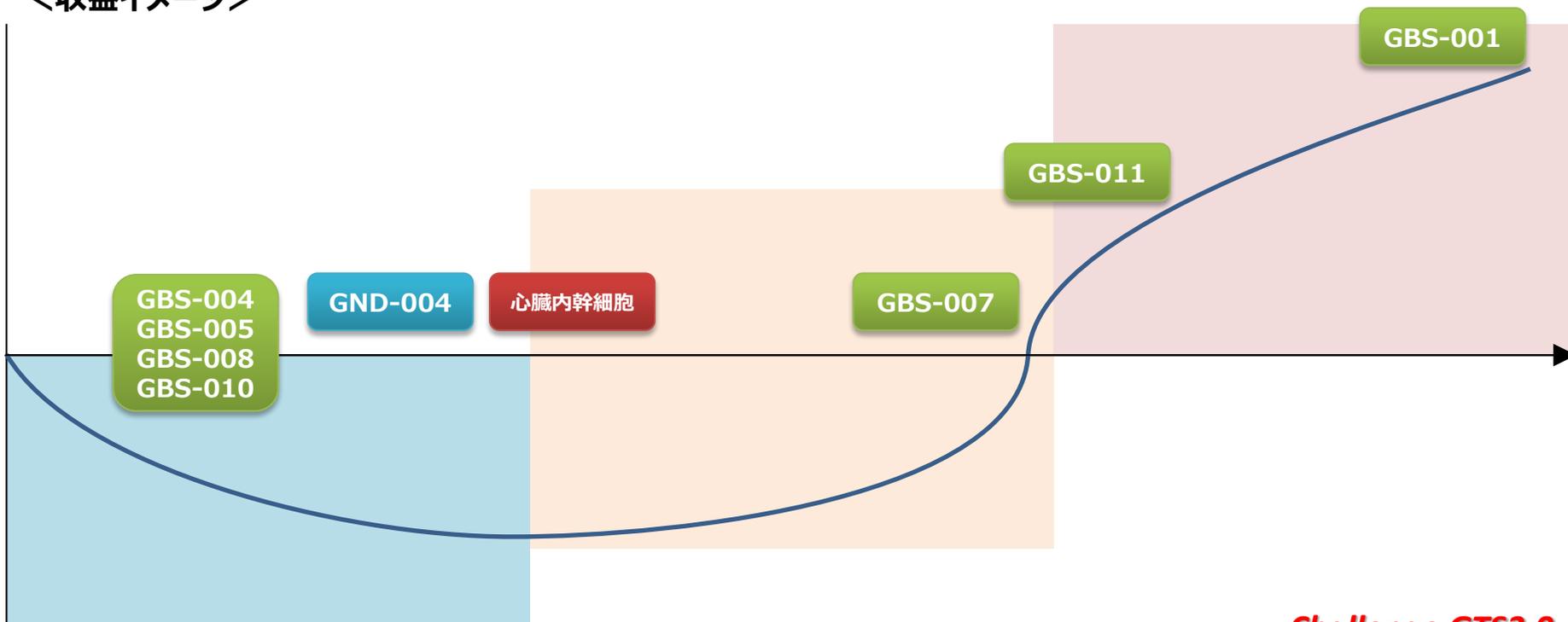
2 臨床試験

- ・製薬企業等との提携
- ・契約一時金、開発マイルストーン収入
- ・臨床試験用の原薬販売
- ・臨床試験費用は提携先が負担

3 製造販売承認・原薬等販売

- ・製造販売承認の取得
- ・販売マイルストーン収入
- ・投資額回収
- ・原薬販売またはロイヤリティ収益
- ・安定収益へ

<収益イメージ>





4. 財務狀況

◆直近3期の実績と将来の展望

区	分	2016年3月期	2017年3月期	2018年3月期	－将来に向けて－
売上高	(千円)	1,160,890	1,089,360	1,059,727	<ul style="list-style-type: none"> ✓ フィルグラスチムバイオミミラーに続く製品の上市による原薬販売収益、または、販売ロイヤリティ収益を計上 ✓ 開発の進捗毎にマイルストーン収益を計上
売上総利益	(千円)	660,190	692,095	637,296	
販売費及び一般管理費	(千円)	1,480,479	1,876,504	1,550,796	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 自社で製造設備を持たないため、外部委託企業を効果的に使うことで係る費用を最低限に抑えられる ✓ 研究開発費以外の固定費は、現状の売上利益で賄える状況
内、研究開発費	(千円)	1,075,354	1,433,170	1,107,411	
経常利益	(千円)	△785,785	△1,176,763	△903,215	
当期純利益	(千円)	△787,685	△1,224,554	△904,557	
1株当たり当期純利益	(円)	△75.73	△68.50	△47.27	
総資産	(千円)	1,694,117	3,706,224	3,025,172	
純資産	(千円)	403,290	3,500,246	2,604,037	
1株当たり純資産額	(円)	33.11	181.69	134.37	
従業員数	(人)	19	20	21	

1. 1株当たり当期純利益は期中平均株式数により、1株当たり純資産額は期末発行済株式総数により算出

2. 2016年10月1日、2018年7月1日付でそれぞれ株式1株につき2株の株式分割を行っております

上記では、2016年3月期の期首に当該株式分割が行われたと仮定して算定した場合の1株当たり指標の推移を記載しております

2019年3月期 第2四半期業績

◆ 2019年3月期 第2四半期業績

	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)	四半期 純利益 (百万円)	1株当たり 四半期純利益 (円) ※
2019年3月期 4月～9月実績 (A)	288	502	(285)	△291	△301	△347	△18.08
2018年3月期 4月～9月実績 (B)	446	724	(500)	△431	△427	△428	△22.38
増減額 (A - B)	△158	△222	(215)	140	126	81	
(参考) 2019年3月期 業績予想値	1,060		1,300	△1,180	△1,180	△1,182	

主なポイント

- フィルグラスチムバイオシミラーは、計画どおりの売上高を達成
※前年対比減だが、納品時期のズレによるものであるため業績予想には影響なし
- 開発進捗に伴うマイルストーン収益含む

- 研究開発費は主にバイオシミラー事業の推進に支出
(開発は順調に進捗)

- 退任取締役に対する特別功労金
45百万円計上
(特別損失)

※2018年7月1日付で株式1株につき2株の株式分割を行っておりますが、2018年3月期の期首に当該株式分割が行われたと仮定して1株当たり四半期純利益を算定しております



5. 今後の成長戦略

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

バイオシミラーが創出する資金を活用しながら、
バイオ新薬・新規バイオ事業に向けての経営資源のシフトを加速化

GTSを取り巻く環境



医薬品市場

競合状況

- 政府による医療費低減のための後発医薬品普及促進策の策定・施行
- バイオシミラー協議会による普及促進活動
- バイオ医薬品の売上シェア向上
- 罹患者数の多い疾患に対する医薬品は飽和傾向にあり、希少性・難治性疾患、小児・若年性疾患への需要が高まる

- バイオシミラー版オーソライズドジェネリックの承認
- 薬価改定
- 儲かる疾患領域への集中化による競争激化
 - ① 海外大手製薬企業の参入
 - ② 臨床開発の大規模化
 - ③ 承認プロセスの厳格化

研究開発

- 先駆け審査指定制度の施行に伴う、新薬承認審査期間の短縮
- 個別化医療へのトレンド移行に伴い、投資効率重視の研究開発時代へ
- 新規医療シーズの探索力が重要視される

- 優良人材の採用難
- 厳しい資金調達環境

バイオシミラー事業

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					長春長生生物科技有限責任会社との提携解消 に向けて交渉中 導出活動中
GBS-007	眼疾患					千寿製薬(株)
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				UPDATE!!	(株)三和化学研究所
GBS-XXX 新規バイオシミラー						
GBS-YYY 新規バイオシミラー						
⋮						

さらなる経営の安定を図るため新規パイプラインを拡充予定

バイオ新薬

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-001 抗ヒトα9インテグリン抗体	免疫疾患、がん							科研製薬(株)
GND-004 抗RAMP2抗体	眼科疾患、がん							導出活動中
GND-007	免疫疾患							

新規バイオ事業（再生医療）

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	心機能の改善							(株)日本再生医療
免疫寛容誘導	自己免疫疾患 臓器移植、アレルギー							順天堂大学 (株)JUNTEN BIO
骨髄間葉系幹細胞	糖尿病性腎症							札幌医科大学 (株)ミネルヴァメディカ

※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。

抗RAMP2抗体国際特許出願

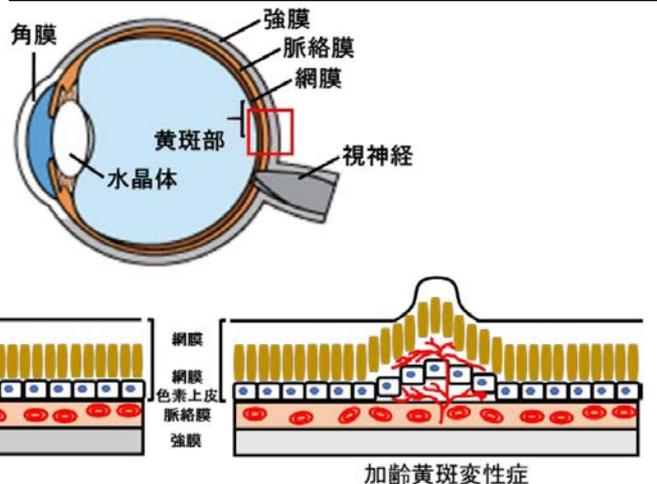
ポイント

- 既存VEGF阻害薬とは異なるメカニズムで治療効果を示す可能性のある抗RAMP2抗体に関する特許の国際出願を完了

既存VEGF阻害薬（血管新生阻害薬）			2017年度売上概算(薬価ベース)※	
			国内	海外
加齢黄斑変性症薬：	ルセンティス	(ノバルティス/アルコン等)	233億円	3,500億円
	アイリーア	(バイエル薬品/参天製薬等)	600億円	7,000億円
抗がん剤：	アバスチン	(中外製薬等)	931億円	7,500億円

※各社の決算資料を基に当社算定

加齢黄斑変性症



高齢者の失明原因の一つ
日本の患者数は69万人

既存薬での治療では再発が問題となっており、
新規メカニズムの治療薬が望まれている

再発率 69.6% (ルセンティス)
68.8% (アイリーア)

出典 J. Ocul. Pharmacol. Ther., 33 (6), 445 (2017)

高産生細胞株構築を目指した基盤技術確立のための共同研究

(chromocenter、SOLA Biosciences, LLC、ジーピーシー研究所)

ポイント

- 高産生細胞株構築を目指した基盤技術確立のための共同研究契約締結
- 単一の成果に留まらず、3社との共同研究成果を融合し、その価値を最大化させる

<本プロジェクトの概要>

① 共同研究

共同研究

各社の技術と当社の抗体技術と組み合わせ
て新しい基盤技術確立を目指す

- ✓ クロモセンターの人工染色体ベクター技術
- ✓ SOLAのTapboost®技術
- ✓ ジーピーシーの高機能化因子

② 基盤技術確立

高産生細胞株がもたらす効果

- ✓ 原薬製造量の増加
- ✓ 製造コストの低減
- ✓ 製造効率化
- ✓ 価格競争力強化
- ✓ 提携交渉の確度UP

③ 競争優位性の確保

バイオ医薬品開発が有利に

開発中のパイプラインや、今後手掛ける
新薬やバイオシミラーにも応用すること
で開発品目の競争優位性を確保



最終的には3社の研究成果を融合し、**超**高産生細胞株創出を目指す

Chromocenter



タンパク質の生産効率の向上
= 生産数を増加・効率化

SOLA Biosciences



細胞の機能効率化
= 製造工程での不良品を減らす

ジーピーシー



製造したタンパク質の細胞外への分泌
= 物流の効率化

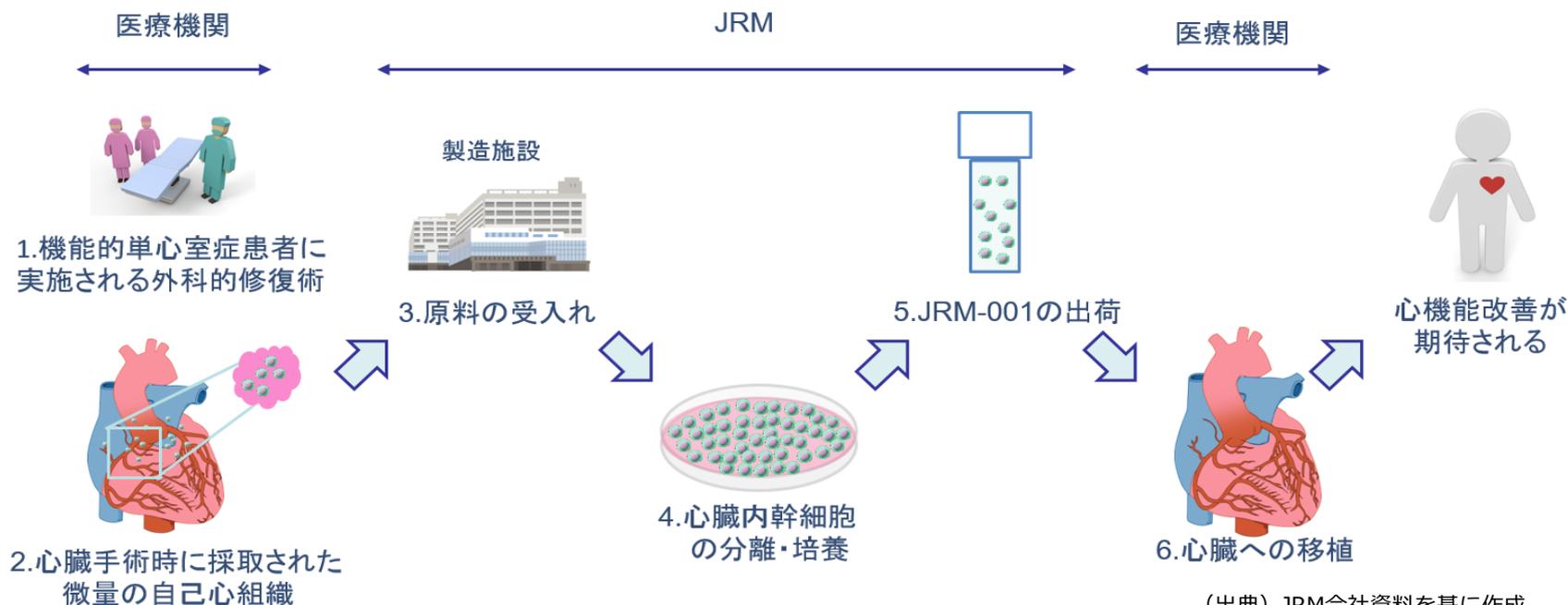
再生医療への取り組み

ポイント

- (株)日本再生医療 (JRM) が開発中の心臓内幹細胞を活用した研究開発
- 心臓手術時に採取された自己心組織から分離・培養する事で心組織の再生及び心機能の改善が期待されている
- 心臓移植が困難な日本において重篤な心疾患に対する新たな治療法を目指す

<心臓内幹細胞を用いた細胞治療の確立！！>

- JRM-001は、岡山大学附属病院 王英正教授より技術移転を受け開発を進めている再生医療等製品
- 術後約1~1.5ヶ月経過後にJRM-001をカテーテルを用いて心臓の冠動脈に移植することで、心組織の再生及び心機能の改善が期待される



(出典) JRM会社資料を基に作成

企業価値向上ドライバー

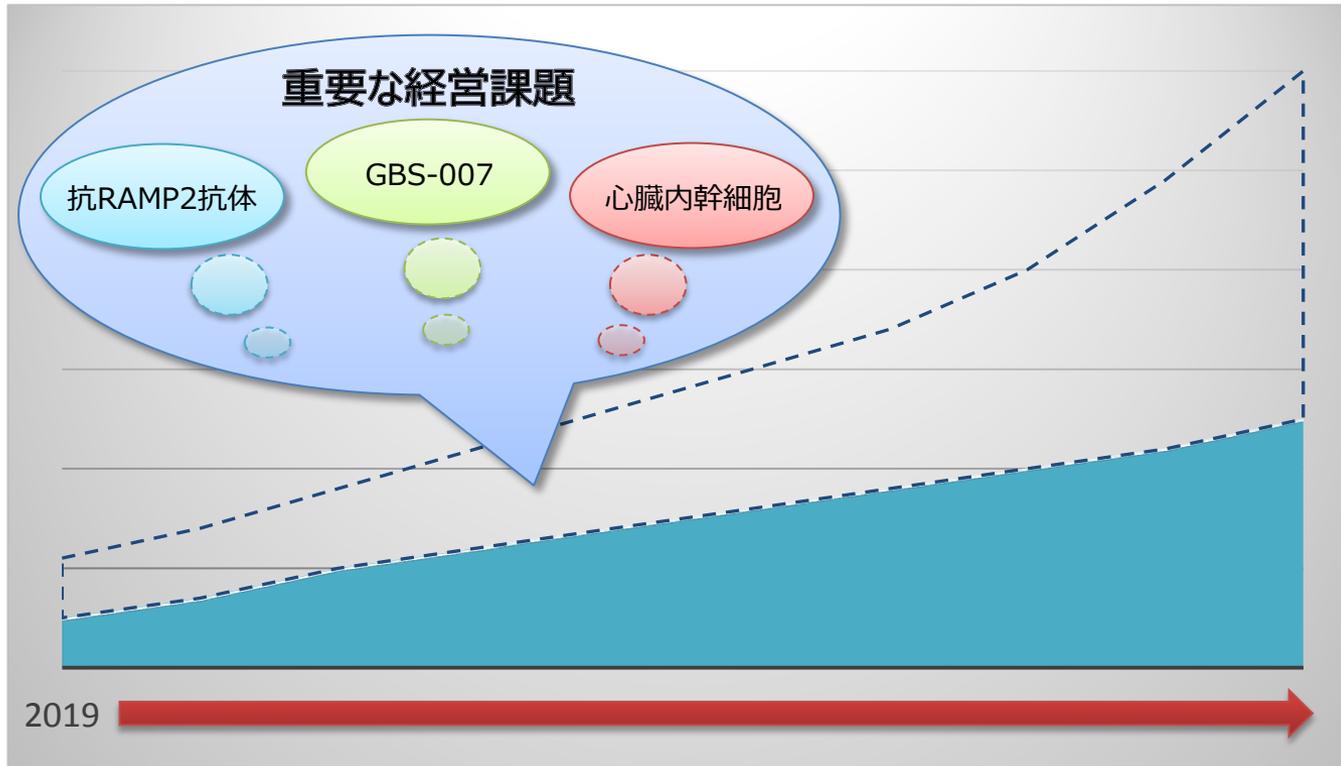
具体的施策

① バイオシミラー事業

- 既存パイプラインの着実な開発推進による売上計画の達成
- 新規パイプラインの着実な開発と提携
- 海外導出の推進、提携一時金、開発進捗に伴うマイルストーン収益等

② バイオ新薬・新規バイオ事業（細胞治療）

- 新規パイプラインの着実な開発と提携
- 提携一時金、ライセンスアウト、開発進捗に伴うマイルストーン収益等





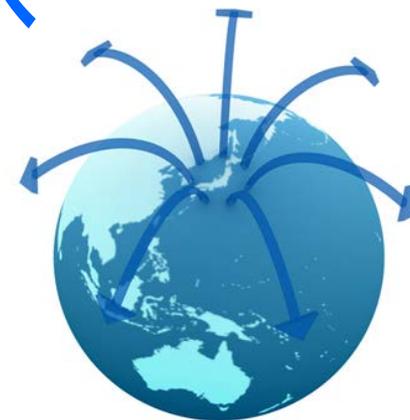
6. 最後に

GTSが目指すところ

我々GTSはこんな思いで、社会へ役立ってまいりたいと考えています!!

1) 日本の優良なバイオ技術を世界へ

日本の大学や研究機関では、様々な優良なバイオ技術の研究開発がなされております。その技術を応用し、製品やサービスを生み出し、日本のみならず広く世界にお届けし、貢献することが、世界の中の日本にとっても大切なことと考えております。



2) 明日の子供たちへ

日本のみならず世界各国で少子高齢化が課題となっております。次の世界を築き上げていくのは、子供たちや若い世代の方々。少子化が進む中、その世代の方々が多くより健やかに社会に飛び立っていくことが大切なことと考えております。そのために、バイオ技術も様々なところで貢献できるものと考えております。





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



参考資料

- ① バイオベンチャー業界・会社の特長
- ② 提携事例等
- ③ 株価推移
- ④ 資金調達に関する資料
- ⑤ 小児疾患領域に関する資料
- ⑥ 用語集

バイオベンチャーのビジネスモデル

(経済産業省レポート2017/11/15)

新規ヘルスケア領域	概要	国内の上場企業数
バイオテック (創薬型)	<p>医薬品の研究・開発を主とする。パイプラインの開発を進め、最終的に自社の新薬として上市されるか、研究・開発の途中で製薬会社にライセンスアウト（開発権や販売権を他社に供与）するかによって若干のビジネスモデルが異なる。ただ、後者の場合でも、将来的な売上に対する権利（ロイヤルティ）が発生する点で、創薬支援型とは異なる。ハイリスク、ハイリターンで、上場後も赤字が長期継続する点で、下記の2つのタイプや他産業と異なる特性がある。</p>	30社程度
バイオテック (創薬支援型)	<p>独自技術を用い、製薬企業の創薬プロセスの中で独自サービスを展開している。独自のモデル動物や解析技術などを持つ企業が多い。サービスを提供するタイプと、試薬を販売するタイプに大別される。請け負う業務としては、薬物動態分析、安全性試験、遺伝子解析など。創薬型よりはリスクは小さく、早くから黒字化を目指せる傾向にあるものの、バイオテック（創薬型）よりは、ミドルリスク、ミドルリターンの傾向にある。</p>	15社程度
ヘルステック	<p>ヘルスケア（医療）×テクノロジー（技術革新）を短縮してヘルステックと呼ばれているが、多くの場合、従来のヘルスケア技術に情報技術（アプリ、ビッグデータ、スマホ、クラウド、センシングデバイスなど）を組み合わせ、新たな価値創造を目指す企業を指す場合が多い。疾患の治療を目的とするバイオテック（創薬型）に対して、予防や疾病管理などへの寄与が先行する大手企業が事業の一環として参入してくるケースが多く、ヘルステックに比較的特化した国内の上場ベンチャーの数は、現状では少ない。</p>	数社程度

バリューチェーンに応じた創薬型ベンチャーのビジネスモデル

(2018年4月27日 経済産業省発表 伊藤レポート2.0 バイオメディカル産業版)

基礎研究/前臨床

前期臨床
(Phase1/2a)

後期臨床・販売
(Phase2b/3、販売)

創薬基盤技術型

創薬シーズを創出する技術(プラットフォーム技術)を持ち、生み出したシーズを他社に導出



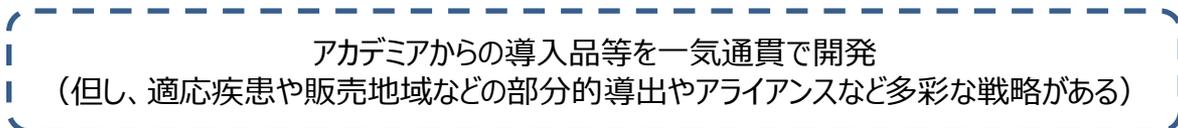
パイプライン買収型

他社の有望パイプラインを企業買収又は導入で獲得、目利きと開発力を重視



創薬パイプライン型

シーズ探索から、自社開発、将来的な自社販売まで一貫通貫での実施を目指す



(注) 実際は1社が1つのビジネスモデルのみに分類されるわけではなく、開発品ごとや企業の成長段階に応じ、柔軟にビジネスモデルを変化させている点には留意が必要

バイオベンチャーの現状と課題

(経済産業省レポート2017/11/15)

- 創薬のパラダイムシフトによるバイオベンチャーの存在感の増加

従来	今後
<p>「大勢の患者に安全な医薬品」を提供するため、医薬品開発は長期化・大規模化</p>	<p>技術発展に伴い、特定患者群に対し、より効果の高い医薬品の提供が可能</p>
<ul style="list-style-type: none"> 研究開発投資「量」が重要 事業規模の大きいメガファーマが有利 	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発投資「効率」が重要 小回りの利くバイオベンチャーが開発主体に

- 医薬品開発の変化に応じた規制改革が着実に実行されている
 - 2014年 再生医療等製品における条件および期限付き承認制度の導入
 - 2015年 先駆け審査制度の導入
 - 2017年 医薬品における条件付き早期承認制度の導入

バイオベンチャーの現状と課題

(経済産業省レポート2017/11/15)

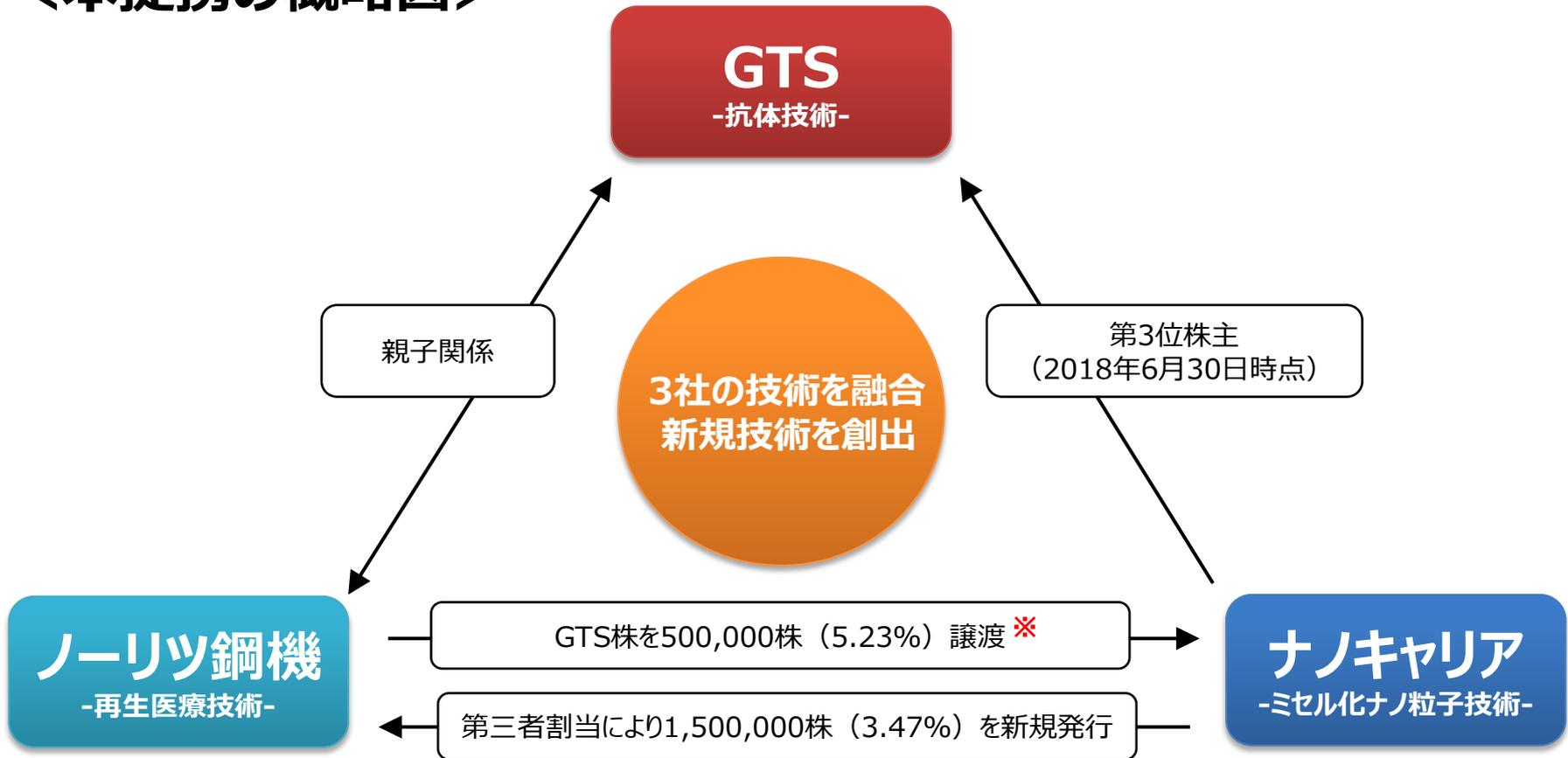
- ◆ 創薬型は基本的に赤字先行のビジネスモデル
- ◆ 日本のバイオベンチャーは国内外の機関投資家からの関心が小さい
- ◆ バイオベンチャーの中には資金調達に苦心し、開発の遅延/中止に直面するものもある
- ◆ 上場後バイオベンチャーの時価総額を比較すると、日本は米欧のみならずアジア諸国にも劣る

ナノキャリア(株)・ノーリツ鋼機(株)との資本業務提携

ポイント

- 3社がそれぞれの強みを持ち寄って、新規バイオ技術の創出を目指す
- ナノキャリアはGTS株を、ノーリツはナノキャリア株を取得し、3社が資本関係を構築

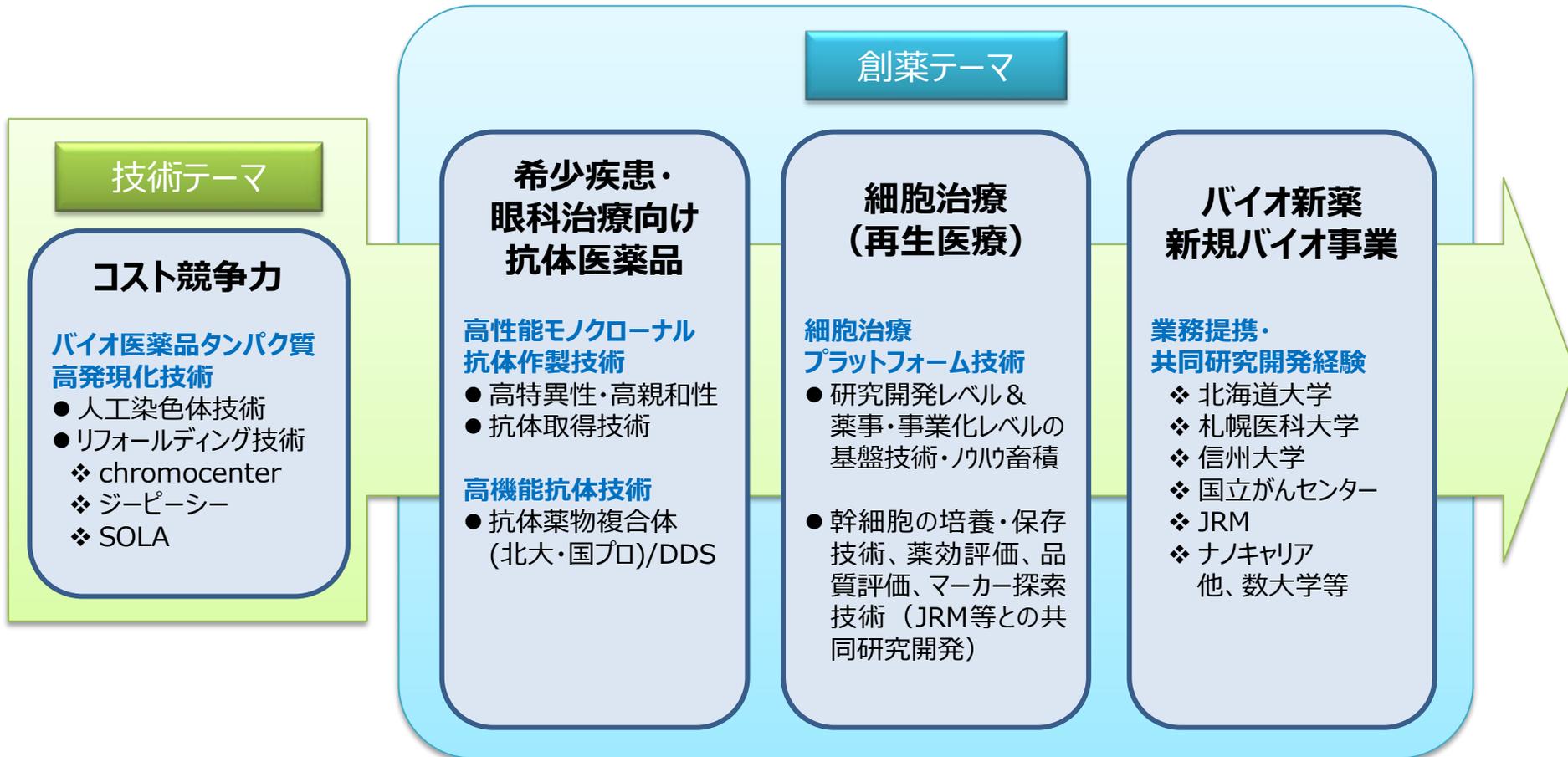
<本提携の概略図>



※ 2018年7月1日付で実施した株式分割（株式1株につき2株）前の株数となります

GTSの保有技術・提携技術・ノウハウ

- ✓ バイオ医薬品の研究開発・製造販売承認申請等の経験・ノウハウ
- ✓ 生物学的評価技術：細胞培養技術／細胞評価技術／病態動物モデル作成評価技術
- ✓ 薬効・薬理・安全性評価



ノーステック財団 事業化支援補助金採択決定

バイオ新薬研究

2018年7月

ノーステック財団 札幌ライフサイエンス産業活性化事業
事業化支援補助金採択決定

<当該補助金の目的>

産学連携・医工連携によるライフサイエンス分野の研究開発の事業化を促進し、
札幌市の産業を活性化することが目的

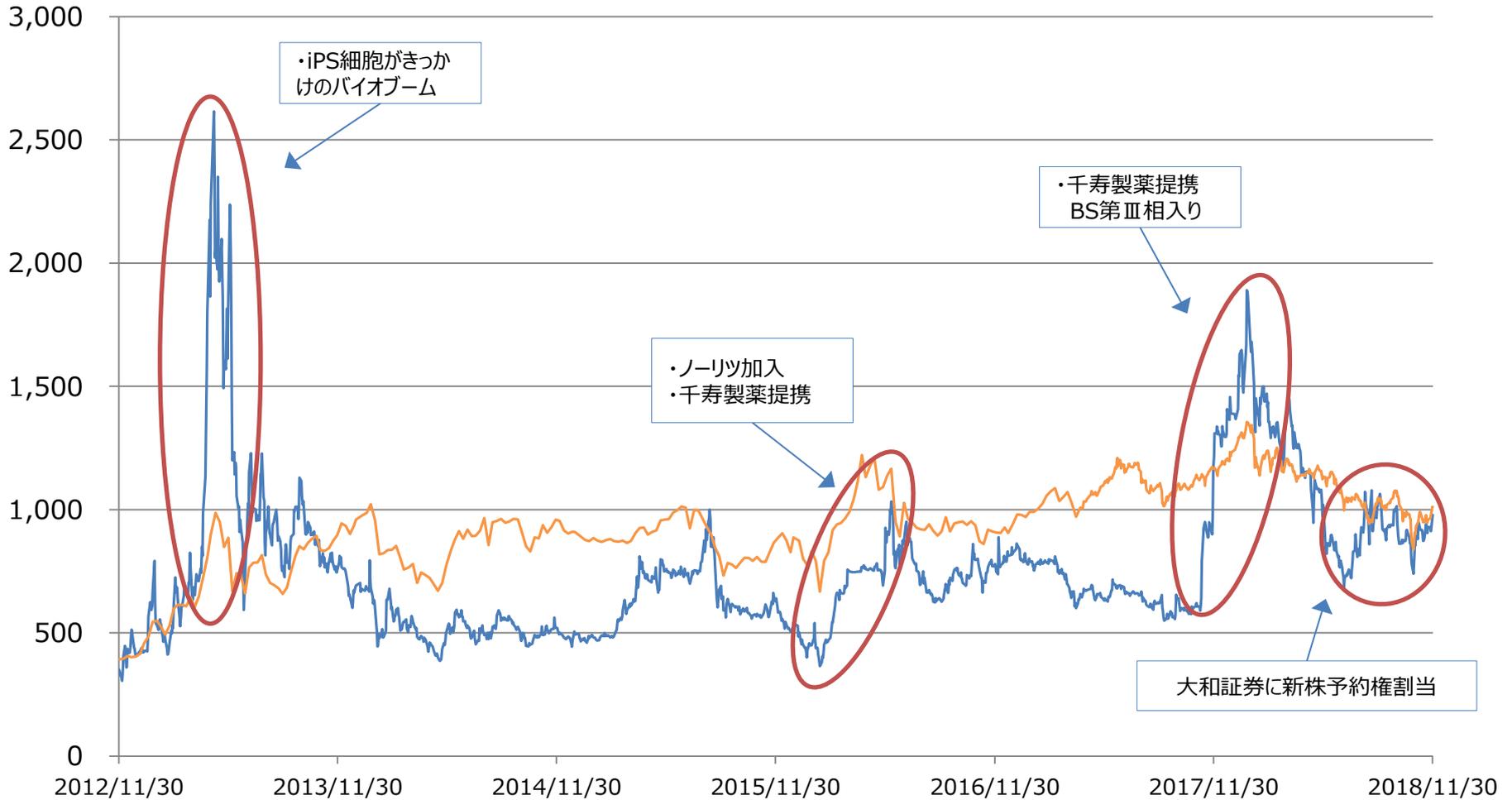


研究内容 『受容体調整タンパク質に対する抗体による難治性疾患治療用抗体医薬品の開発』

- 信州大学 医学部循環病態学教室の新藤隆行教授との共同研究
- 潰瘍性大腸炎等の難治性自己免疫疾患の治療や癌転移に関わる分子を発見
- 補助金の助成を受けて、上記分子を標的とした治療薬の開発を行う
- 既存の治療薬とは作用メカニズムが全く異なる事から、これまでの薬で効果が得られなかった患者様、
また治療薬が存在しなかった患者様にも薬を提供できる可能性がある

株価推移

— GTS株価 — マザーズ指数



350.25円

979円

(注) 上記株価は上場以後に行われた株式分割を考慮した数値としております。

今後の事業推進に向けての資金調達

第6回新株予約権	
対象株式数	1,500,000株（株式分割調整後3,000,000株）
発行済株式総数比	15.68%（平成30年6月1日現在）
発行価額合計	5,955千円
差引手取概算額	3,059百万円
行使期間	2年（平成30年7月2日～平成32年7月1日）
発行方法	大和証券に第三者割当
当初行使価額	2,041円（株式分割調整後1020.5円）
上限行使価額	なし
行使価額修正	各行使請求の効力発生日の直前取引日終値の92%に修正
下限行使価額	1,429円（株式分割調整後 714.5円）
基準株価対比	70%
その他	行使停止、行使の要請（コミットメント）、取得条項、取得請求権、譲渡制限
資金使途	主要事業であるバイオシミュレーション事業における研究開発への追加投資、既存バイオ新薬の研究開発費用及びバイオ新薬の導入・新規バイオ事業（再生医療）の拡充に係る費用



今後の事業推進に向けての資金調達

資金調達の目的	<ul style="list-style-type: none"> ● 今後の事業推進に向けて、希少性・難治性疾患領域、特に小児領域をターゲットに企業価値をさらに向上していくために必要な資金を確保 <ul style="list-style-type: none"> ➢ バイオシミラーパイプラインの開発の着実な推進 ➢ 高い成長ポテンシャルを持つバイオ新薬事業及び再生医療事業の推進 ● 投資家層の拡大による流動性の向上（株式分割と併せてその効果を最大化） 						
資金調達方針	<ul style="list-style-type: none"> ● 当社の事業計画、手元流動性及び資金需要、さらには株価動向を総合的に判断した上で、行使要請通知及び行使停止要請通知を行うことにより新株予約権の行使に対して一定のコントロールをしながら、柔軟に資金調達を進める ● 資金調達の必要性がなくなった場合には、当社の判断によりいつでも残存する新株予約権を取得し、消却する 						
資金使途	<table border="1"> <tbody> <tr> <td data-bbox="415 788 1574 951">1. 既存のバイオシミラーパイプライン（GBS-002～011）のうち3品目に係る製造方法の最終化、商用品の供給に向けた準備、製造販売承認の取得に向けた申請等の準備にかかる費用</td> <td data-bbox="1613 788 1872 836">1,350百万円</td> </tr> <tr> <td data-bbox="415 958 1574 1058">2. 新規バイオシミラーパイプライン1～2品目の製法プロセス開発、品質試験及び非臨床試験にかかる費用</td> <td data-bbox="1651 958 1872 1006">650百万円</td> </tr> <tr> <td data-bbox="415 1100 1574 1200">3. 既存バイオ新薬の研究開発費用及びバイオ新薬の導入・新規バイオ事業（再生医療）の拡充費用</td> <td data-bbox="1613 1100 1872 1149">1,059百万円</td> </tr> </tbody> </table>	1. 既存のバイオシミラーパイプライン（GBS-002～011）のうち3品目に係る製造方法の最終化、商用品の供給に向けた準備、製造販売承認の取得に向けた申請等の準備にかかる費用	1,350百万円	2. 新規バイオシミラーパイプライン1～2品目の製法プロセス開発、品質試験及び非臨床試験にかかる費用	650百万円	3. 既存バイオ新薬の研究開発費用及びバイオ新薬の導入・新規バイオ事業（再生医療）の拡充費用	1,059百万円
1. 既存のバイオシミラーパイプライン（GBS-002～011）のうち3品目に係る製造方法の最終化、商用品の供給に向けた準備、製造販売承認の取得に向けた申請等の準備にかかる費用	1,350百万円						
2. 新規バイオシミラーパイプライン1～2品目の製法プロセス開発、品質試験及び非臨床試験にかかる費用	650百万円						
3. 既存バイオ新薬の研究開発費用及びバイオ新薬の導入・新規バイオ事業（再生医療）の拡充費用	1,059百万円						

医薬品・ヘルスケア市場のトレンド

- 罹患者数が多数の疾患から、より細分化された疾患へ
- ブロックバスター製品（世界年間売上高1,000億円以上）から個別製品へ
- 世界の医薬品市場規模は100兆円以上へ

ビタミン剤・抗生物質

消化性潰瘍薬・生活習慣病薬

自己免疫疾患、免疫調整剤

抗がん剤・中枢神経系薬剤

難病・希少疾患

小児・若年性疾患



罹患者数が多数の疾患
ブロックバスター製品



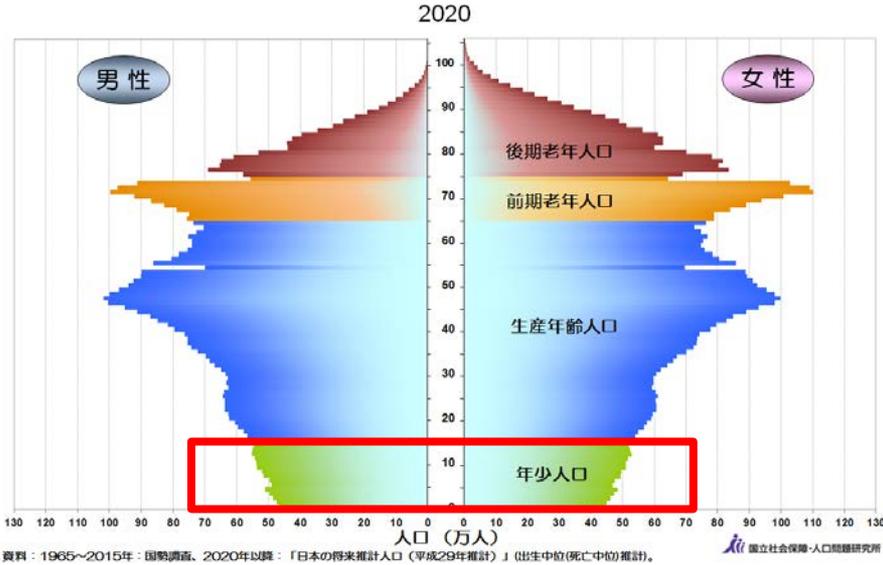
疾患の細分化
個別化医療

- 個の医療の重要性がより高まる
- これまでなおざりな傾向にあった難病、希少疾患、そして小児疾患の研究開発がより着目される

小児疾患のポテンシャル

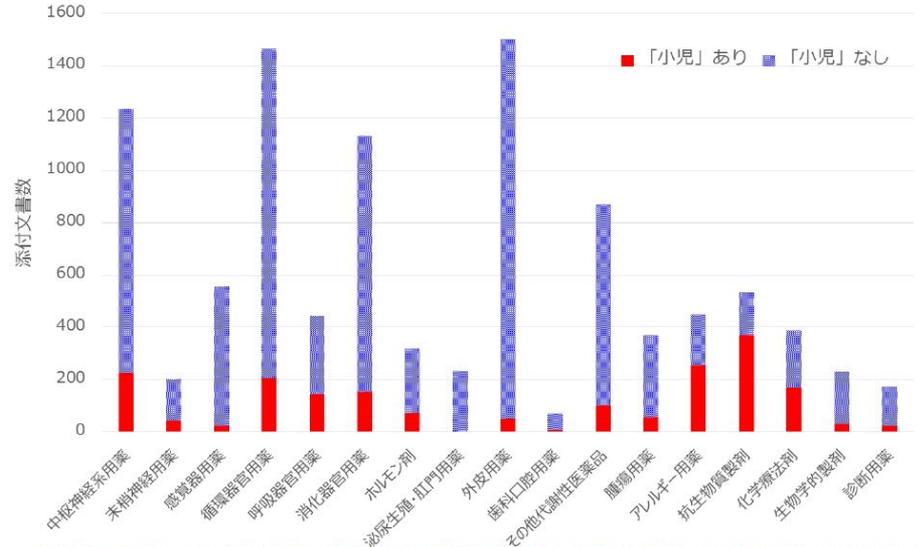
— 小児・若年層の医療の充実を図る重要性 —

日本の人口ピラミッド



出典：国立社会保障・人口問題研究所ホームページ
(<http://www.ipss.go.jp/>)

添付文書でみる小児適用取得数



平成27年5月現在。PMDA医療用医薬品情報検索で「効能又は効果／用法及び用量」に「小児」を含むものをカウント

出典：独立行政法人医薬品医療機器総合機構ホームページ
(<http://www.pmda.go.jp/>)

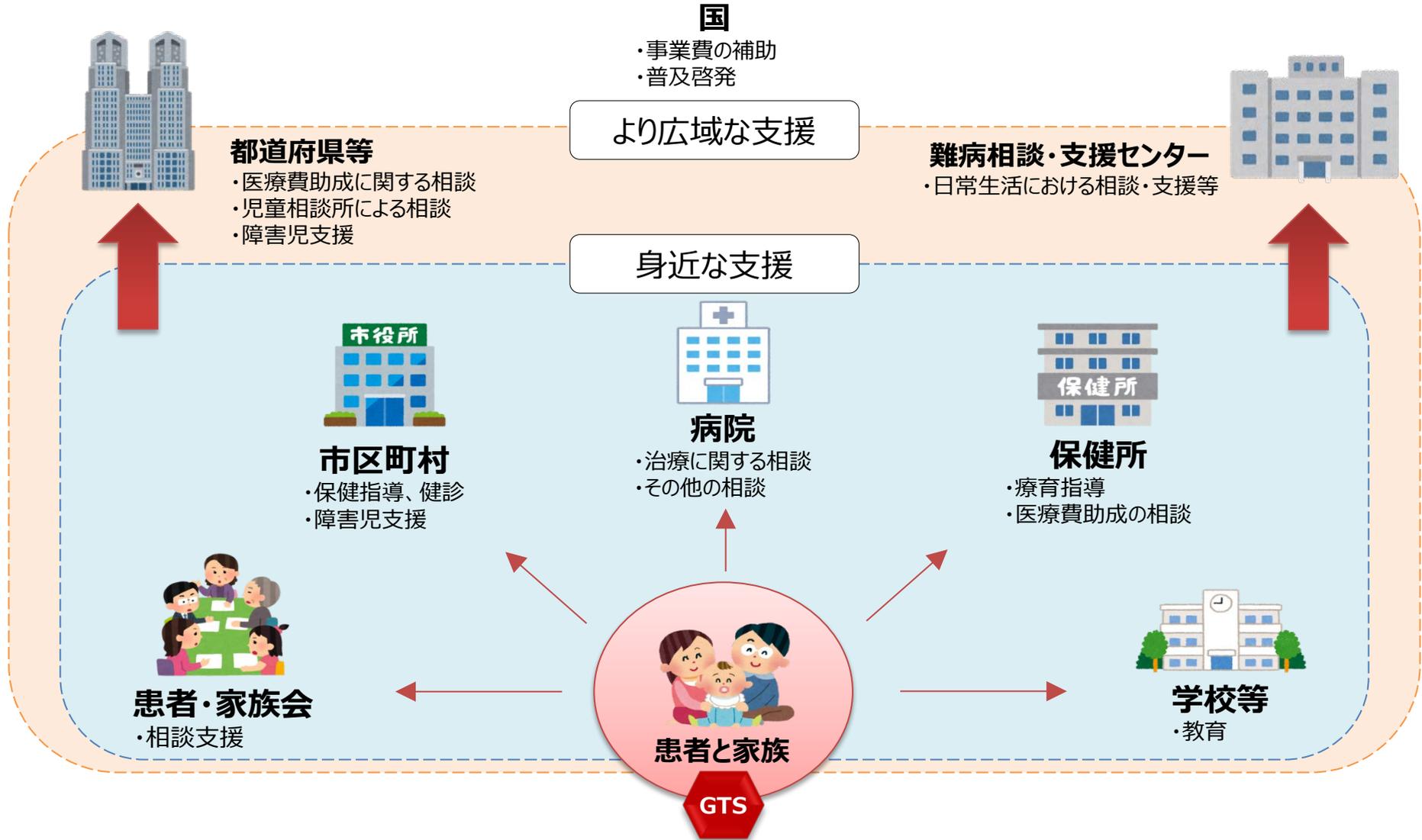
- 日本含め多くの国々で人口は逆ピラミッドを示している
日本の場合、総人口に対する年少人口（15才未満）の割合は約12.5%であり、著しく低下している
- 将来の日本や世界の経済を支えるべき年少人口の減少は、健全かつ持続可能な社会の維持に警鐘をならすもの

- 医薬品開発でみると、成人向けの製造販売承認は取得されても、小児向けの用法・用量を取得している薬剤は少ない
- 小児疾患（15歳未満）関連の薬局調剤医療費は2015年時点で約5,000億円、日本の全体同費が約8兆円で、約6.25%にあたる
- 添付文書での小児疾患カバー状況を鑑みても、満たされていない患者はいると想定され、市場規模も更にあるものと考えられる



小児患者を取り巻く環境

— 全ての当事者を視野に入れた包括的なケアを目指して —



新たな治療法を提供し、患者とその家族や取り巻く支援環境への負担を軽減し、社会に貢献する



用語集

基礎研究	病気の要因を特定する研究やそれを治療できる医薬品の種を探し出す研究のこと
シーズ	医薬品の種 (seeds) のこと
原薬	薬効成分の原料を原薬と呼び、原薬に添加剤を加え、製剤とすることにより、医薬品となる
抗体	体内に異物が侵入した際に、それを無毒化又は体外へ強制的に排出するために白血球細胞で作られるタンパク質であり、異物である抗原という特定の物質のみに結合する機能を持つ
好中球	白血球の一種で、炎症部に集合し、細菌、真菌などの異物を貪食、殺菌、分解し、生体を防御する
低分子医薬品	通常、化学合成で作製される分子量が数千以下の医薬品のこと
ジェネリック医薬品	特許期間が満了になった医薬品と同じ成分の医薬品は、動物やヒトでの薬効や毒性はその成分で検証されているので、簡単な品質試験と血中濃度での同等性を証明することで承認される。このような医薬品をジェネリック医薬品と呼ぶ
バイオ医薬品	バイオテクノロジーを応用した医薬品のこと
バイオ新薬	バイオ医薬品の新薬のこと
バイオ後続品	既に販売承認を与えられているバイオ医薬品と同等／同質の医薬品のこと



用語集

パイプライン	石油・天然ガスなどの流体を長距離にわたって輸送するためのパイプと同様に、絶え間なく医薬品の創出ができるように開発品が整っている様を指し、開発品のリストを研究開発パイプラインと呼ぶ
非臨床試験	ヒトで実施できない試験を動物で行うことを非臨床試験と言い、薬効を調べる薬理試験、薬の体内動態を調べる薬物動態試験及び毒性を調べる毒性試験からなる
臨床試験	非臨床試験での有効性及び安全性の結果を踏まえ、ヒトでの医薬品の効果を調べる試験のこと
ライセンスイン	知的財産権の実施権や物品・技術の使用・販売権などを譲り受け、対価（契約金、開発マイルストーンペイメントやロイヤリティなど）を支払うこと
ライセンスアウト	知的財産権の実施権や物品・技術の使用・販売権などを製薬企業等に許諾し、対価（契約金、開発マイルストーンペイメントやロイヤリティなど）を得ること
再生医療	ヒトの身体から細胞を取り出し、目的とする組織や臓器移植に活用する次世代の治療方法。患者本人の細胞（自家細胞）を活用する治療が中心であるが、本人以外から採取した細胞（他家細胞）を活用できれば、さらに多くの患者の治療が可能になるため、現在も広く研究が進められている
産生細胞	目的のタンパク質や抗体を大量に効率よく作り出す能力を持った（あるいは遺伝子工学によってそのような能力を持たせた）細胞のことを言い、それを大量に培養し、抽出・精製することを経て、バイオ医薬品が製造される
上市	医薬品として承認され、実際に市販されること
ブロックバスター	従来の治療体系を超える薬効を持ち、全世界での年間売上が10億ドルを超える新薬に対して用いられることが多い