

中期経営計画
(平成 25 年 12 月期～平成 27 年 12 月期)

平成 25 年 2 月 15 日

上場会社名 株式会社セルシード (コード番号: 7776 JQ グロース)
 (URL <http://www.cellseed.com/>)
 問合せ先 代表取締役社長 長谷川 幸雄
 取締役最高財務責任者管理部門長 細野 恭史 TEL: (03) 5286-6231
 (「*」を付している用語につきましては、末尾の「用語解説」で簡単に解説しております。)

1. 損益目標数値 (平成 25 年 12 月期～平成 27 年 12 月期)

<グループ連結>

	売上高	営業利益	経常利益	当期純利益
	百万円	百万円	百万円	百万円
平成 25 年 12 月期	530	△245	△215	△230
平成 26 年 12 月期	575	0	30	15
平成 27 年 12 月期	75	△505	△505	△525

<セグメント別>

	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 25 年 12 月期	70	460	△10	65	△300
平成 26 年 12 月期	75	500	10	260	△270
平成 27 年 12 月期	75	0	10	△240	△275

●細胞シート再生医療事業では、これまでの研究開発活動の果実である収益の獲得、公的助成・補助の活用による研究開発資金の獲得、将来収益のための先行投資の実施などを計画しております。

◆ 主な収益・収入要因

- 事業提携の実現による提携一時金 850 百万円の獲得 (平成 25 年 12 月期～平成 26 年 12 月期)
- 平成 24 年 12 月期入金済みの Emmaus Medical 社との「米国における角膜再生上皮シート共同開発・事業化」契約一時金 150 万米ドルの収益計上 (平成 25 年 12 月期)
- 公的助成金・補助金の獲得による研究開発資金の獲得 (平成 25 年 12 月期～平成 27 年 12 月期)

◆ 主な先行投資要因

- 現在交渉中の事業提携先との協働による「細胞シート再生医療第 1 号の早期事業化」を目指した研究開発投資
- 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

●再生医療支援事業では、製品販売による販売収入の獲得、将来収益の拡大を目的としたマーケティング投資の実施及び新製品研究開発のための先行投資の実施などを計画しております。

2. 前提条件

(1) 中期ビジョン及び中期事業計画における基本方針

新たな中期ビジョン及び中期事業計画における基本方針は以下の通りです。

中期ビジョン（平成25年12月期～平成27年12月期）

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

中期事業計画（平成25年12月期～平成27年12月期）における基本方針

当社は、中期事業計画において、「事業提携」・「戦略投資」・「財務基盤」を3つの柱として新たな持続的成長モデルの構築に取り組みます。

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号製品の早期事業化を図る

- ◆ 事業提携の実現を通じて、主に以下の2点の達成を図ります。
 - これまでの研究開発成果の収益化（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
- ◆ 中核となる事業提携については、平成25年12月期から平成26年12月期における実現を目途といたします。
- ◆ 並行して、細胞シート再生医療第1号製品の早期事業化を目的として、事業提携の内容と社内外の環境変化に応じた研究開発戦略の大胆かつ機動的な組み換えを検討いたします。

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

- ◆ 公的助成・補助などを活用して、当社が比較優位を有する「シーズ製品化」機能のさらなる強化を図ります。一例として、温度応答性細胞培養器材表面に関する研究開発の強化が挙げられます。
- ◆ 再生医療産業化のマクロな方向性を先取りし、先端シーズ・技術の開発に戦略的に取り組みます。例えば、産学連携に基づく新しい細胞シート再生医療シーズの開発が挙げられます。
- ◆ 日本における法規制の整備によって生じる新しい事業機会への戦略的参入を検討いたします。この点については現在日本で検討されている法規制整備の状況（特に迅速承認制度、細胞受託加工業の創設）に注目し、事業提携を通じた参入の可能性も視野に入れながら戦略的な検討を進める方針です。

第3の柱：収支バランスを改善し、持続的成長を支え得る「財務基盤」を確立する

- ◆ 事業提携、公的助成・補助、金融的手法など多様な手段を活用して、上記第1・第2の柱の推進に必要な資金の調達及び安定的資金源の開発に取り組みます。
- ◆ 一方で、費用対効果向上を通じた継続的な支出抑制に取り組みます。

(2) 背景となる現状認識

当社の概要

●当社の使命

「細胞シート*工学」という日本発の革新的再生医療技術を基盤として様々な「細胞シート再生医療」製品を開発し、その世界普及を推進することです。

●当社の事業領域

- ◆ 細胞シート再生医療事業（細胞シート再生医療製品の研究開発・製造・販売を通じてその世界普及を推進する事業）
- ◆ 再生医療支援事業（温度応答性細胞培養器材等の研究開発・製造・販売を通じて再生医療の研究開発を支援する事業）

当社の基盤技術（細胞シート工学）の概要

●当社の基盤技術である細胞シート工学は、東京女子医科大学の岡野光夫教授（当社取締役）が世界で初めて創唱した技術で、バラバラの細胞から生体組織*・臓器の基本単位となる「細胞シート」を生体外で人工的に作製することができる再生医療基盤技術です。当社の理解では、細胞シート工学は特に以下の2つの点で他の再生医療技術と一線を画しています。

- ◆ 「ヒト細胞のみから生体外で人工的に様々な種類の生体組織を構築する」という課題をヒト臨床可能なレベルで原理的に解決している現時点で唯一の技術であること
- ◆ 同じ技術から様々な種類の組織を構築できるという「プラットフォーム（技術基盤）性」を有していること

●「細胞シート」は、現在世界で唯一当社が製品化している「温度応答性細胞培養器材 UpCell1」を用

いてのみ作製することが可能です。「細胞シート」は再生医療に有用と考えられる様々な特長を有しており、以下はその例です。

- ◆ 生体内で組織（又は組織の基本単位）として機能する
 - ◆ 利用する細胞の種類などに応じて、様々な種類の組織・臓器（の損なわれた機能）の修復・再生に活用できる可能性がある
 - ◆ 無縫合で生着する
 - ◆ 積み重ねることが可能であることから、厚みのある3次元組織を構築できる可能性がある
- 細胞シート再生医療については既に角膜上皮、心筋、食道上皮、歯周組織、軟骨など様々な組織の再生に関する臨床研究が実施されており、実際のヒト患者治療における基本的な安全性・有効性についての科学的エビデンスが示され始めています。

当社を取り巻く外部環境

当社は、近年当社を取り巻く外部環境が大きく変化しつつあると認識しており、経営戦略・事業計画の策定にあたってこの変化を充分考慮すべきであると考えております。現時点における当社の基本的な外部環境認識は以下の通りです。

●再生医療の潜在市場規模

- ◆ 非常に大きいと期待されている
 - ◆ ただし、その絶対額やその顕在化時期については様々な推測・見解がある
- ＜ご参考：これまでに報道等がなされた再生医療世界市場規模予測（2020年時点）の例＞
- ◇ 約1兆3,000億円（シードプランニング社、新聞報道による）
 - ◇ 約8,700億円（経済産業省）
- ◆ 当社は、今後「生産のブレークスルー」が再生医療市場顕在化の鍵の1つとなると見ている

●再生医療の適応疾患

- ◆ これまでに上市されている製品の多くが、皮膚または軟骨をターゲットとしている模様
- ◆ 現在開発中の候補製品の多くが、神経、心臓、血管、膵臓をターゲットとしている模様
- ◆ 換言すると、今のところ再生医療製品の適応組織・疾患は比較的限定されていると見ることができる

●企業参入状況

- ◆ 当社の理解では、世界的に見て再生医療の事業化はこれまでのところベンチャー企業が主な担い手であり、近年大手企業が再生医療に関する研究開発を手掛け始める例が出て来ているもののまだ大きなトレンドにはなっていない模様
- ◆ 一方、再生医療周辺の技術・市場（例：細胞分析機器、再生医療製品自動製造装置）などへの企業参入の動きは近年活発化しており、特に日本においてはiPS細胞（人工多能性幹細胞）の登場を1つの契機として大手企業が本格的に活動し始めている模様

●法規制

- ◆ 近年、世界各国で再生医療製品の特性に応じた薬事法規制の制定・改定が進んでいる
 - ◆ 特に日本では、国策として再生医療の産業化を推進するという方針に沿って法規制が整備されつつあり、例えば下記のような法規制の制定・改正がいずれも2013年通常国会に提出される方向であると報道されている
- 再生医療推進基本法案
 - 関連法規制の改正
 - 自家細胞（患者自身の細胞）を利用した再生医療を対象とした「迅速承認制度」の導入＜薬事法の改正＞
 - 再生医療・細胞培養製品を培養・加工する「細胞受託加工業」の創設＜医療法の改正＞
 - 再生医療安全性確保新法案

当社の現状

●創立以来の当社の歩みは、細胞シート工学及び細胞シート再生医療発展の歴史でもあります。これまでに当社は、その第1段階（コンセプトの具現化・立証）を概ね終え、第4段階（ビジネスモデル最終形の確立）へ向けて現在第2段階（事業プロセスの確立）及び第3段階（収益化→利益創出）に取り組んでいるところです。

●細胞シート再生医療のバリューチェーン（価値連鎖）における当社の中核的役割は、「シーズの製品化」＝「ヒト臨床において基本的な安全性・有効性が科学的に示されたシーズに対して産業製品

としての価値（規格化、工業製造工程の確立、薬事承認など）を付加すること」であると考えております。

- 当社の強みの源泉は、細胞シート作製に不可欠な温度応答性細胞培養器材と細胞シート工学のプラットフォーム（技術基盤）性であると考えております。
- 当社は、細胞シート工学のプラットフォーム（技術基盤）性を活かして、現在下記5つの細胞シート再生医療パイプラインの研究開発に取り組んでおります。
 - ◆ 角膜再生上皮シート
 - ◆ 心筋再生パッチ
 - ◆ 食道再生上皮シート
 - ◆ 歯周組織再生シート
 - ◆ 軟骨再生シート
- 上記5つのパイプラインの中で最も開発が進んでいる角膜再生上皮シートにつきましては、欧州において先端医療医薬品としての販売承認を得るべく、平成23年12月期に欧州医薬品庁宛に承認申請を提出いたしました。
- 一般的に革新的な医薬品の研究開発には10年以上の時間と数十～数百億円以上の先行投資が必要とされており、この先行投資期間・資金の確保が革新的医薬品の開発に取り組むベンチャー企業に共通する構造的課題となっております。当社もその例外ではなく、昨年度に当社が実施した経営合理化策は当時の資金状況を主因として実施されたものです。
- ただし、昨年（平成24年）12月に新株式・新株予約権の第三者割当を実施し、平成25年2月1日までにそれらの全額（合計約820百万円）の調達が完了しております。

（3）パイプライン別研究開発方針

上記「（2）中期ビジョン及び中期事業計画における基本方針」でご説明しました通り、今後当社は状況に応じて細胞シート再生医療第1号製品の早期事業化を目的とした研究開発戦略の大胆かつ機動的な組み換えを検討する方針です。この組み換えにあたって重視するポイントは以下の通りです。

- ◆ 現在交渉中の事業提携の内容
- ◆ 外部環境の変化（特に日本における法規制整備の動向）
- ◆ 巨視的に見た業界動向（長期的視点、グローバルな視野）
- ◆ 当社の現状（強み、資金を含めた経営資源の制約など）

現時点におけるパイプライン別研究開発方針は以下の通りです。

- 角膜再生上皮シート
 - 特 徴：自家*口腔粘膜*上皮細胞より培養した細胞シート
 - 適 応 症：重度の視覚障害を伴う角膜上皮幹細胞疲弊症*（将来適応拡大を検討する方針）
 - 対象市場：全世界
 - 主な研究開発方針：
 - ◆ 欧州における開発
 - 現在取り組んでいる事業提携交渉の状況、現在行っている欧州医薬品庁との協議結果、今後の資金調達見通し等を踏まえて、今年度中に欧州における開発計画を抜本的に見直します。
 - 当社グループは平成23年12月期に審査機関である欧州医薬品庁（EMA）宛に販売承認申請を提出しており、現在同庁の薬事審査を受けております。
 - 従来平成25年12月期における販売承認取得を目指しておりましたが、昨年来の資金状況により開発計画を見直す必要が出て来ています。
 - ✓ 欧州医薬品庁から出されたコメントへの対応などにつきましては、資金状況により平成24年12月期には期待通りの進捗が得られませんでした。
 - ✓ また、平成25年12月期より開始する計画としていた多施設分散型治験につきましても、実施予定国の約半数より治験開始承認を得たものの、資金状況により今のところ具体的な開始時期がまだ確定していません。
 - ✓ このような状況を踏まえて、当社は現在欧州医薬品庁と今後の進め方に関する協議を行っております。
 - 当社は、角膜再生上皮シートの科学的な安全性・有効性に問題はないと考えている一方で、今後の欧州における開発にあたっては相応の資金が必要となると見ております。この基本

認識の下で、欧州医薬品庁との協議の結果、当社の資金状況、現在取り組んでいる事業提携交渉の状況などを総合的に勘案して、今後欧州における開発計画を抜本的に見直す方針です。

- 従って、損益目標数値では、当面予定している費用のみを織り込み、多施設治験に係る費用及び販売承認後の収益は織り込んでおりません。

◆ 人道的使用制度を通じた製品有償提供の開始

- 人道的使用制度の活用は欧州における開発計画と密接に関連していることから、上述の欧州開発計画の見直しと併せて、今後その推進計画を抜本的に見直します。
- 従って、損益目標数値では、人道的使用制度の活用による収益・費用を織り込んでおりません。

◆ 米国における開発

- 可及的速やかに米国において治験を開始することを目指しております。
 - これまでに米国 FDA より、当社製品について CBER（生物製剤評価センター）が審査にあたる旨の連絡を受けております。
 - これまでの欧州・日本におけるヒト臨床結果から、当社では米国での治験開始に必要なヒトでの基本的な安全性・有効性を示す合理的根拠を揃えることが可能であると考えております。
- 米国における開発は Emmaus Medical 社と共同で推進する計画であり、損益目標数値では同社が開発費用を負担する前提としております。

● 心筋再生パッチ

特徴：自家筋芽細胞*等より培養した細胞シート
適応症：拡張型心筋症*、心筋梗塞などの虚血性心疾患
対象市場：全世界
主な研究開発方針：

◆ ヒトにおける基本的な安全性・有効性の確認

- 共同研究先における臨床研究の結果として、基本的な安全性・有効性が示されることが前提条件となっております。
 - 共同研究先における臨床研究はこれまでのところ順調に推移しております。
 - この臨床研究に関して、補助人工心臓*を外して退院され日常生活に復帰された症例など具体的な成果が報告されております。
- 当社は平成 24 年 12 月期にテルモ株式会社との間でヒト骨格筋筋芽細胞シートの実用化を目指した基本合意を行いました。同社が既に治験を開始していることから、骨格筋筋芽細胞シートについては治験開始にあたって求められる安全性・有効性が確認されたと考えることができます。

◆ 事業提携を通じた推進

- 現在交渉を進めている事業提携を通じて治験以降の開発を推進することを検討しております。
- 従って、損益目標数値では、事業提携先が開発費用を負担する前提としております。

● 食道再生上皮シート

特徴：自家口腔粘膜上皮細胞より培養した細胞シート
適応症：食道癌除去後の手術部位治癒及び食道狭窄*防止
対象市場：全世界
主な研究開発方針：

◆ ヒトにおける基本的な安全性・有効性の確認

- 共同研究先で実施された臨床研究に関する論文が発表され、食道癌除去後の食道上皮再建に関する基本的な安全性・有効性を示されました。
- 一方、事業化に向けては適応拡大の検討が 1 つの課題となっております。現在、この点を考慮に入れて海外における治験の実施可能性を検討しております。

◆ 事業提携を通じた推進

- 現在交渉を進めている事業提携を通じて治験以降の開発を推進することを検討しております。
- 従って、損益目標数値では、事業提携先が開発費用を負担する前提としております。

●**歯周組織再生シート**

特 徴：自家歯根膜*細胞より培養した細胞シート

適 応 症：中～重度の歯周病

対象市場：全世界

主な研究開発方針：

◆ ヒトにおける基本的な安全性・有効性の確認

- 共同研究先における臨床研究の結果として、基本的な安全性・有効性が示されることが前提条件となっております。
- 既に共同研究先における臨床研究が始まっており、また前臨床研究の結果から判断する限り臨床研究において基本的な安全性・有効性が確認できる可能性があると考えております。

◆ 事業提携を通じた推進

- 現在交渉を進めている事業提携を通じて、治験以降の開発を推進することを検討しております。
- 従って、損益目標数値では、事業提携先が開発費用を負担する前提としております。

●**軟骨再生シート**

特 徴：自家軟骨細胞等より培養した細胞シート

適 応 症：軟骨欠損、変形性膝関節症*

対象市場：全世界

主な研究開発方針：

◆ ヒトにおける基本的な安全性・有効性の確認

- 共同研究先における臨床研究の結果として、基本的な安全性・有効性が示されることが前提条件となっております。
- 既に共同研究先における臨床研究が始まっており、また前臨床研究の結果から判断する限り臨床研究において基本的な安全性・有効性が確認できる可能性があると考えております。

◆ 事業提携を通じた推進

- 現在交渉を進めている事業提携を通じて治験以降の開発を推進することを検討しております。
- 従って、損益目標数値では、事業提携先が開発費用を負担する前提としております。

(4) 財務方針

●損益目標数値は必要資金が手当てできることを前提に編成されておりますが、この必要資金については、現有手許資金を充当する他、現在交渉中の事業提携の実現を通じた資金の獲得及び先行投資負担の軽減、公的助成・補助の活用、エクイティ・ファイナンスを含めた金融的手法など多様な手段を活用して機動的に手当てを行う方針です。

●併せて、安定的資金源の開発にも取り組みます。

●また、先行投資・経費については資金状況に即して機動的かつ柔軟に運営していく一方、費用対効果向上を通じた継続的な支出抑制に取り組みます。

<ご参考>用語解説（本文中で*を付した用語に関する簡単な解説、五十音・アルファベット順）

用語	意味・内容
拡張型心筋症	左室の拡張を伴った左心室の機能不全。たいていの患者は全体に収縮力低下を示すが部分的壁運動異常が起こることもある。通常はうっ血を伴う心不全徴候を示すが、低心拍出量状態を現す倦怠感を示すこともある。
角膜上皮幹細胞疲弊症	角膜上皮の幹細胞（角膜と結膜の間の輪部に局在する）が疲弊し、角膜上皮を消失する難病。
幹細胞	他の細胞の元となり得る細胞で、様々な細胞に分化し得る能力と細胞分裂を経てもなお分化し得る能力を併せ持つ細胞。
筋芽細胞	後に筋線維になる原始筋細胞。筋線維の細胞の分化と増殖に関与する蛋白質（成長因子）を高い比率で含有し、心筋再生に適していると考えられる。
口腔粘膜	歯肉を含む口腔の粘膜。
口腔粘膜上皮細胞	口腔粘膜の表面（上皮）を構成する細胞。
細胞シート	温度応答性細胞培養器材を用いて培養・作製される細胞外マトリクスを保持しシート状に連結した細胞群。
自家（細胞）	自分自身の（細胞）。
歯根膜	哺乳類において、歯根のセメント質と歯槽骨壁を結合する結合組織性の繊維膜。食物を咬んだときに生じる圧力を緩衝するだけでなく、血管や神経に富み、栄養補給や知覚にも関与する。
人道的使用 (Compassionate Use)	他に治療法がない重篤な疾患に対して人道的見地から薬事審査当局が一定の条件の下に販売承認前の製品の使用を認める欧州薬事制度。
食道狭窄	食道の一部が狭くなった状態。食物を飲み込むときの障害や嘔吐（おうと）などの症状がある。癌（がん）、潰瘍（かいよう）の瘢痕（はんこん）などによって起こる。
組織	多細胞生物において、同一の機能・形態を持つ細胞集団。多細胞生物では、通常それを構成する細胞が分化し、機能が専能化し、分業化が起こる。
治験	薬事許認可申請を提出することを目的として、ある未承認医薬品をヒトに投与してデータを収集しそのヒトにおける安全性と有効性を検証するための臨床試験。
変形性膝関節症	関節軟骨のびらんを特徴とする関節炎で、一次性のものと、外傷や疾患による二次性のものがある。関節軟骨は軟化し、すりきれ、菲薄化し、軟骨下骨の象牙質化と辺縁部の骨棘形成を伴う。疼痛と機能障害を生じる。主に荷重関節を侵し、老年者によりよくみられる。
補助人工心臓	急性あるいは慢性心不全に陥ってしまった心臓の代わりに、血液循環のためのポンプ機能を補う治療用装置。
臨床研究	医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの。実施医療機関の倫理委員会の承認を得た上でさらに厚生労働大臣の意見を取得して、初めて実施が許される。
EMA（欧州医薬品庁）	EU加盟27ヶ国及びアイスランド、リヒテンシュタイン、ノルウェーの計30ヶ国における医薬品等の製造販売に関する安全性・有効性の審査及び承認等を行う官庁。
iPS細胞（人工多能性幹細胞）	ES細胞や分化した細胞に、ES細胞に発現する4つの遺伝子（Oct3/4、Sox2、Klf4、c-Myc）を導入することにより、ES細胞同様に多種多様な細胞に分化する能力を持った細胞。

以上

本開示資料は、投資者に対する情報提供を目的として将来の事業計画等を記載したものであって、投資勧誘を目的としたものではありません。当社の事業計画等に対する評価及び投資に関する決定は投資者ご自身の判断において行われるようお願いいたします。

また、当社は、事業計画に関する損益目標その他の事項の実現・達成等に関しその蓋然性を如何なる意味においても保証するものではなく、その実現・達成等に関して一切責任を負うものではありません。

本開示資料に記載されている将来に係わる一切の記述内容（前提条件、ビジョン、各種方針、損益目標数値を含みますがそれらに限られません。）は、現時点で入手可能な情報から得られた当社の判断に基づくものであり、将来の経済環境の変化等を含むこれらの記述内容の前提に変動が生じた場合その他様々な要因の変化により実際の当社グループの事業の状態・業績等が影響を受けて本開示資料の記載内容と大きく異なる可能性があります。