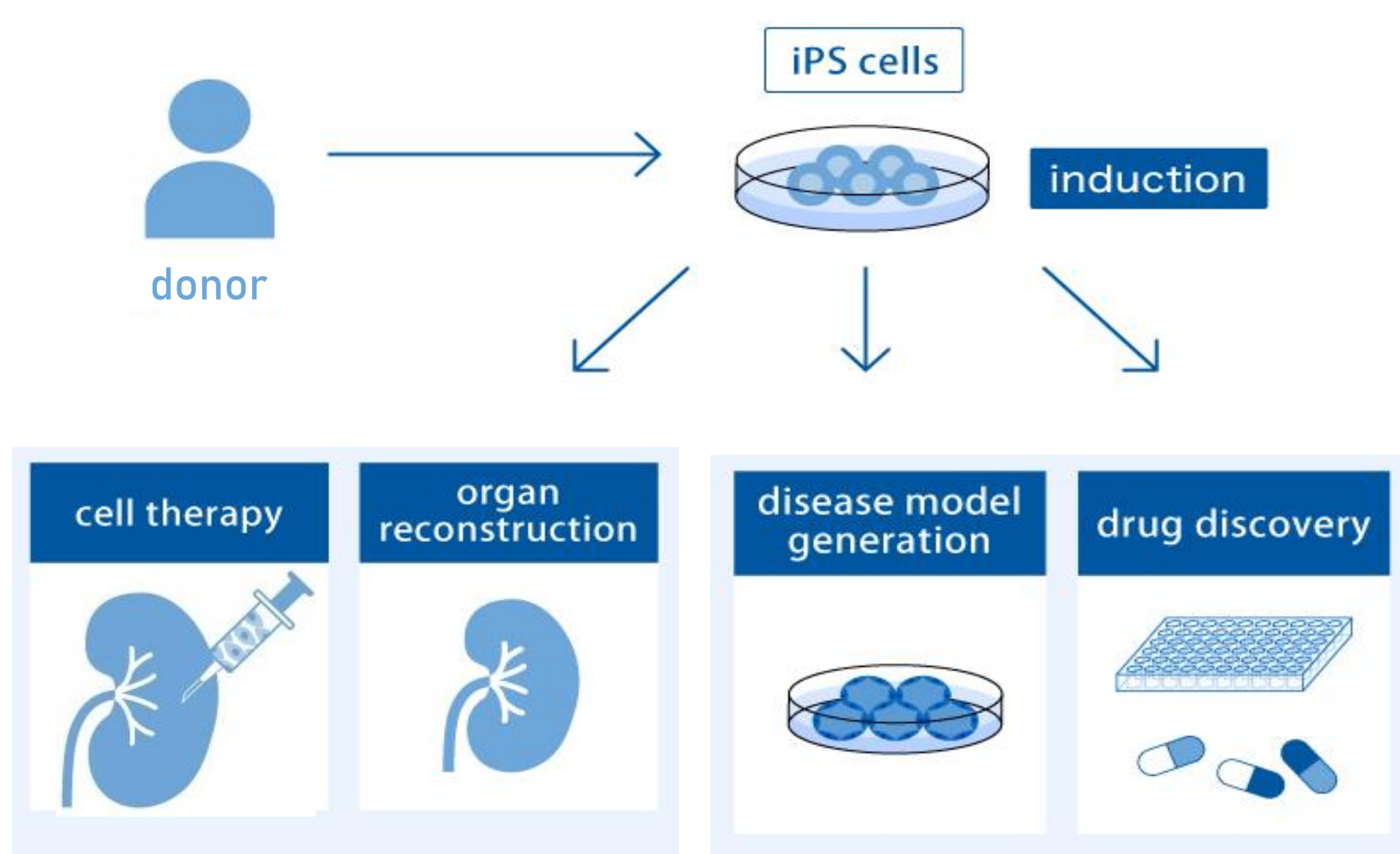


iPS細胞から分化誘導した腎細胞による細胞治療とiPS創薬を推進する企業



- ▶ 京都大学iPS細胞研究所 長船健二教授のシーズを社会実装するために2019年9月に設立された
- ▶ 慢性腎臓病の細胞治療と常染色体優性多発性嚢胞腎 (ADPKD) の低分子医薬を開発中
- ▶ ADPKD治療薬については、フェーズIIの臨床試験が進行中
- ▶ 将来的には肝臓、膵臓の細胞治療や病態モデルから発見する治療薬にも展開

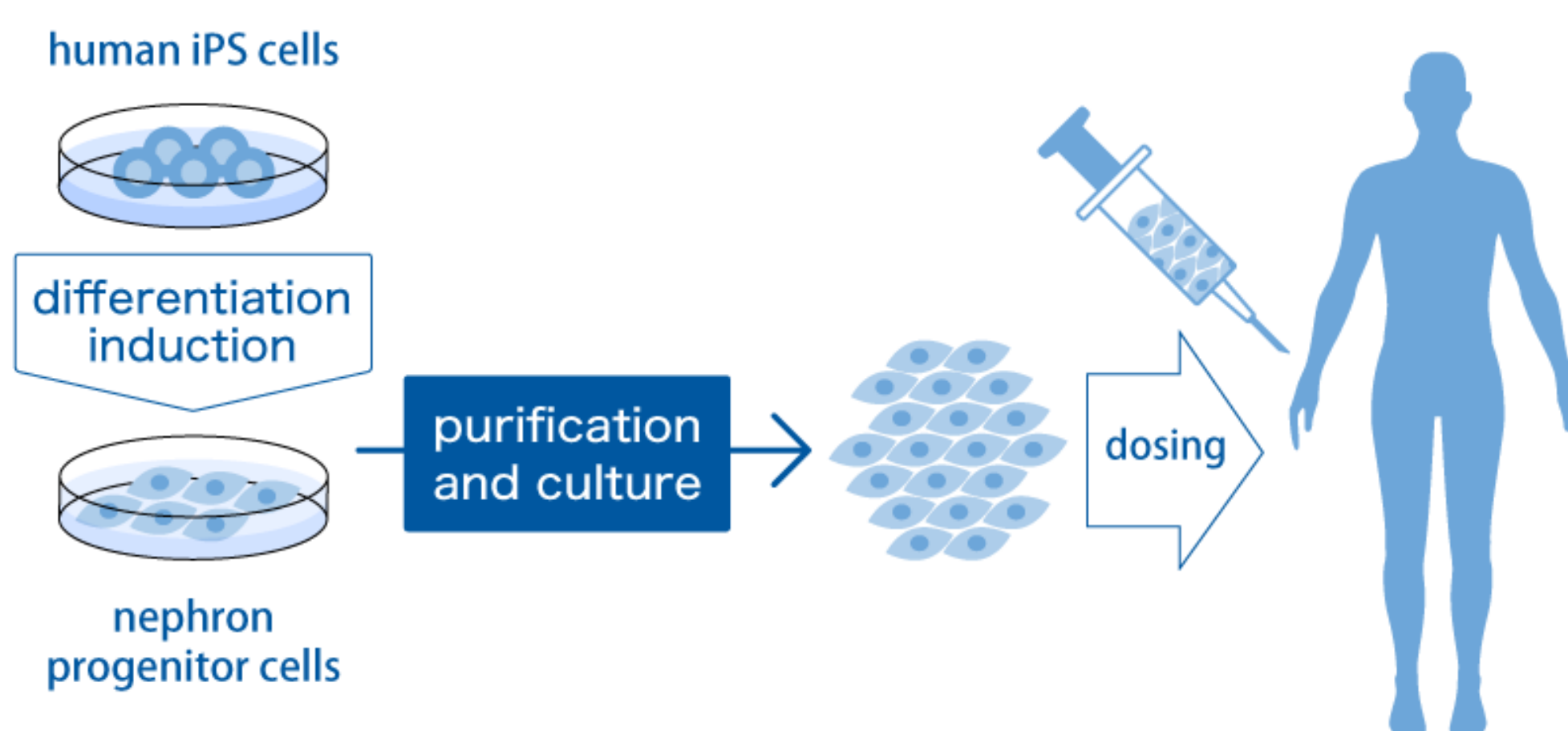
プロダクト：慢性腎臓病(CKD)の細胞治療 (iNPC)

透析療法の年間コスト

日: 500万円/患者
米: 1,000万円/患者

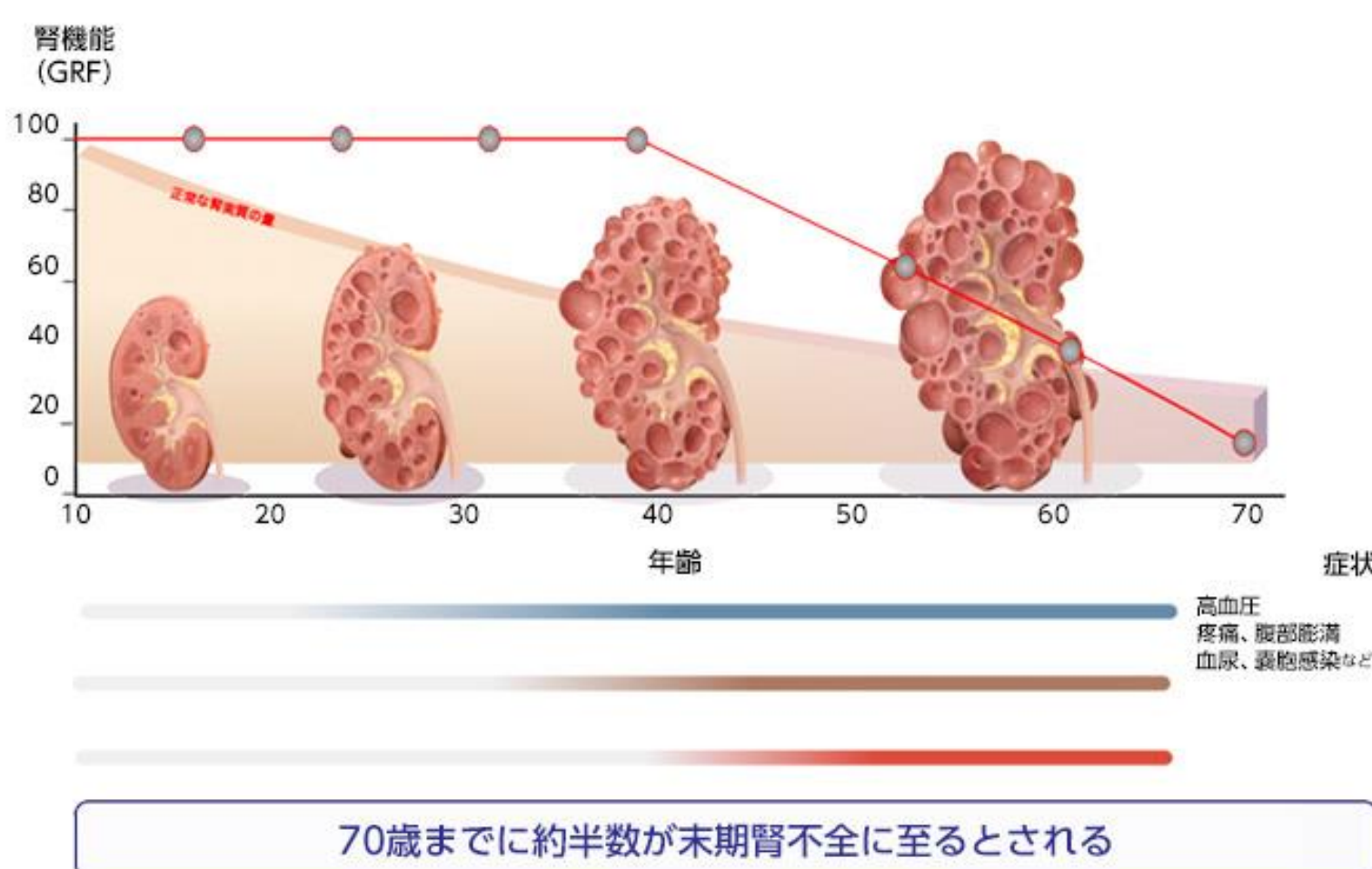
末期腎不全の年間コスト

日: 1.5兆円以上
米: 5兆円以上

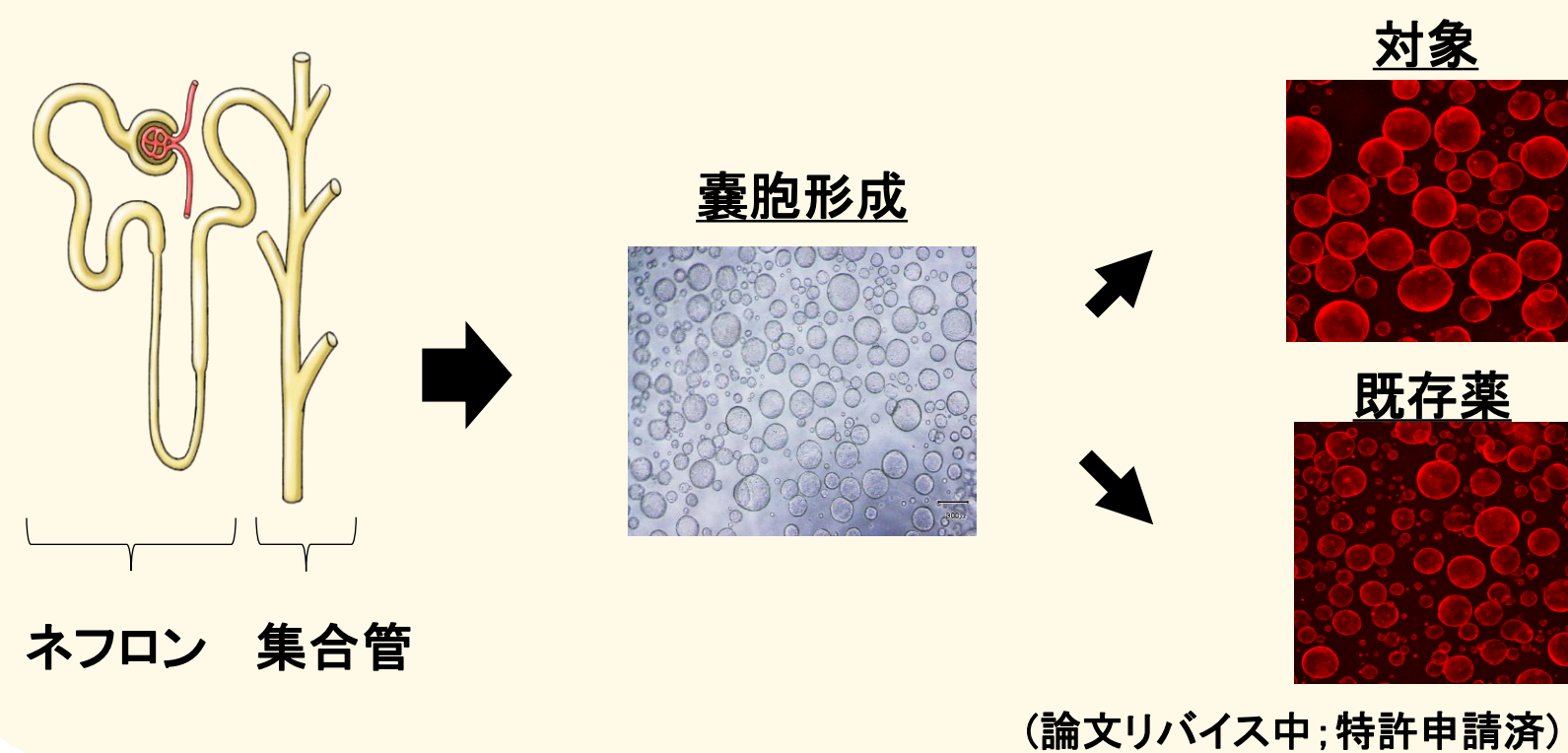


- ▶ 他家ヒトiPS細胞から誘導したネフロン前駆細胞 (iPSC-derived Nephron Progenitor Cells ; iNPC) RN-032を慢性腎臓病の細胞治療として開発中。
- ▶ ネフロン前駆細胞 (Nephron Progenitor Cells ; NPC) は創業科学者の長船教授の発見した腎臓の最小単位ネフロンの起源となる細胞。腎機能を改善する効能。
- ▶ 末期腎不全の患者は透析療法に移行するが、腎移植以外にCKDの根本的な治療法はない。しかし腎移植は年間米国20,000件、日本は2,000件。十分にはほど遠いのが実情。

プロダクト：iPS創薬によるADPKDの低分子医薬



疾患特異的iPS細胞由来ADPKD病態モデル



- ▶ 常染色体優性多発性嚢胞腎 (ADPKD) は最も患者数の多い単一遺伝子による遺伝子疾患。遺伝子PKD1、PKD2の変異によって発症。腎臓における嚢胞形成が特徴で、進行して腎不全に至り透析療法が必要となる。
- ▶ PKD1欠損iPS細胞から誘導された尿管芽細胞から、ADPKDに特徴的な腎嚢胞を再現した病態モデルの開発に成功した。
- ▶ 病態モデルで低分子化合物RN-014の有効性を発見し、ADPKD治療薬としてフェーズIIの臨床試験を進行中。

経営チーム



森中 紹文 (PhD, MBA)

代表取締役CEO

- ▶ ベンチャー投資 (ジャフコグループ)
- ▶ 創薬、新規事業 (アステラス製薬)
- ▶ 生命科学博士 (東京大学)

JAFCO



山口 勝久 (CPA)

取締役CFO

- ▶ CFO (サンドジャパン)
- ▶ ファイナンスダイレクター (中外製薬英国)
- ▶ 経理部長 (GSKジャパン)

SANDOZ
a Novartis company



中野 毅

開発本部長

- ▶ 開発本部プロジェクトマネジメント部長 (GSK)
- ▶ グローバル臨床開発 (田辺三菱製薬)
- ▶ 100品目以上の承認・効能追加に関与



長船 健二 (MD, PhD)

取締役 最高科学顧問

- ▶ 教授 (京都大学iPS細胞研究所)
- ▶ 幹細胞研究 (ハーバード大学)
- ▶ 医師 (京都大学)、理学博士 (東京大学)



HARVARD
UNIVERSITY



小林 義史 (PhD)

生産本部長

- ▶ iPS細胞の製造プロセス開発 (アステラス製薬、iPSアカデミア、iPSポータル)
- ▶ 生命科学博士 (広島大学)



これまでの成果

- ▶ 慢性腎臓病の細胞療法
マウスCKDモデルに対する有効性確認
製造プロセス、拡大培養プロセスの開発
- ▶ ADPKDの低分子薬
マウスADPKDモデルでの非臨床POCの取得
臨床試験フェーズII 開始
- ▶ 共同研究
アストラゼネカ、三井化学、島津製作所、日機装、アブダビ幹細胞センター、東洋製罐、他



資金調達

- ▶ シード：4億6,000万円 (2020年)
- ▶ シリーズA：13億9,200万円 (2022年)
- ▶ シリーズB：25億円(2024年)
- ▶ ライフサイエンスのトップVCから出資
- ▶ ライフサイエンスのトップ企業から出資
- ▶ 金融機関、政府機関他から出資



採択助成事業

AMED ViCLE、AMED再生医療基盤技術、京都府、京都市等

腎疾患に対する様々なソリューションを研究開発し、
腎疾患に苦しむ患者さんのQuality of Lifeの改善により
社会に貢献する

〈お問い合わせ〉
リジェネフロ株式会社 (取締役CFO山口)
E-mail: info@regenephro.co.jp
http://www.regenephro.co.jp/