

Kidswell.Bio

バイオで価値を創造する -子ども・家族・社会をつつむケアを目指して-



証券コード：4584

事業計画及び 成長可能性に関する事項

2024年6月28日

キッズウェル・バイオ株式会社

Agenda

目次

- ◆ **会社概要**
- ◆ **ビジネスモデル** -事業内容・市場環境-
 - ・ **バイオシミラー事業**
 - ・ **細胞治療事業（(株)S-Quatre）**
- ◆ **バイオリジクス産業とバイオベンチャーの状況**
 - ・ **バイオリジクス産業の状況**
 - ・ **国内バイオベンチャーの状況**
- ◆ **成長戦略** -競争力の源泉-
- ◆ **財務ハイライト**
- ◆ **主要なリスク情報**

会社概要

こどもの力になること、こどもが力になれること KIDS WELL, ALL WELL

注力領域

小児疾患（若年性疾患含む）
難病、希少疾患

事業の方向性

治療法が不十分な疾患に
対する医療を提供する

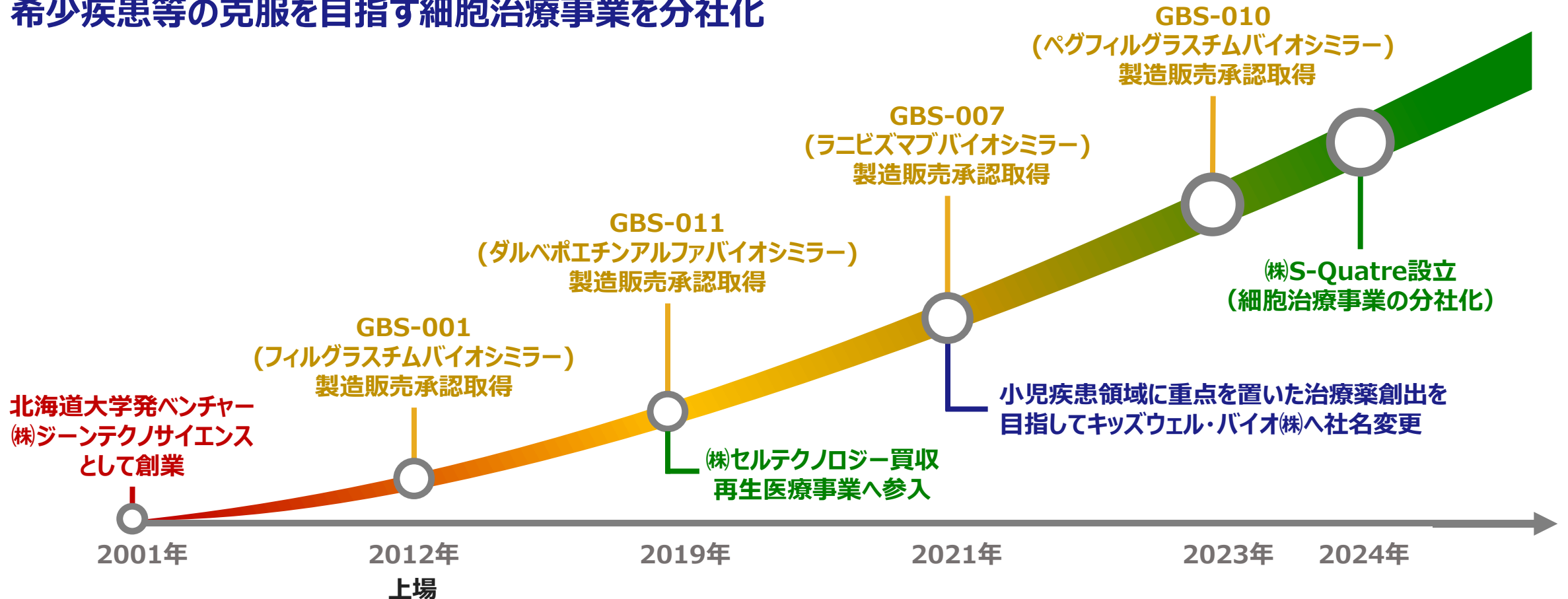
明日の“こども”たちへ

- 少子高齢化が全世界で課題となっている現代社会において、次の世界を築き支えるこどもたちの負担を軽減するのは大きな社会課題
- 病気に苦しむ患者様に早期に新たな治療薬・治療法を提供し、こどもも、こどもを支える大人も、みんなが幸せに明るく暮らすことができる社会の実現に貢献する

キッズウェル・バイオ株式会社 Kidswell Bio Corporation

設立	2001年3月
上場	2012年11月（東証グロース）
資本金	2,036百万円（2024年3月31日現在）
所在地	<p>本社 東京都中央区新川一丁目2番12号</p> <p>研究所 札幌研究所（北海道大学内） 東京ラボ（三井リンクラボ新木場2）</p>
従業員数	42名（2024年3月31日現在）
主要株主	ノーリツ鋼機株式会社、NANO MRNA株式会社、JSR株式会社、千寿製薬株式会社
グループ会社	株式会社S-Quatre（当社100%子会社）
事業内容	<p>バイオシミラー事業：キッズウェル・バイオ株式会社</p> <p>細胞治療事業（再生医療）：株式会社S-Quatre</p>

- バイオ医薬品の創薬研究・開発を行うバイオベンチャーとして創業
- 4製品のバイオシミラーの開発、上市を達成し、安定的な収益基盤を確立
- 資金調達の最適化、研究開発の更なる促進を目的に、小児疾患、難病、希少疾患等の克服を目指す細胞治療事業を分社化



紅林 伸也（くればやし しんや） 代表取締役社長



2004年6月	マサチューセッツ工科大学理学部物理学科 修士課程修了
2004年4月～	ゴールドマン・サックス証券(株) 投資銀行本部にて、投資銀行業務、企業買収・企業投資業務に従事
2009年8月～	モルガン・スタンレー証券(株)（現 三菱UFJモルガン・スタンレー証券(株)）投資銀行本部にて、投資銀行業務に従事
2014年10月～	独立行政法人科学技術振興機構にて、内閣府ImPACTプログラムの立ち上げに参画
2015年9月～	(株)再生医療推進機構（現 (株)セルテクノロジー）にて、管理部立ち上げ、事業開発及び上場準備を推進
2019年3月～	当社入社 執行役員 事業開発本部長 就任
2023年6月～	当社代表取締役社長 就任

取締役	代表取締役社長	紅林 伸也	元 ゴールドマン・サックス、モルガン・スタンレー、(株)セルテクノロジー
	取締役	三谷 泰之	元 アステラス製薬(株)
	社外取締役	栄木 憲和	元 バイエル薬品(株) 代表取締役会長
	社外取締役	西岡 佐知子	(株)プラスナコミュニケーションズ 代表取締役
執行役員	最高経営責任者 最高コミュニケーション責任者 経営戦略本部長	紅林 伸也	
	研究本部長	三谷 泰之	
	開発本部長	川上 雅之	元 富士フィルム(株)
	生産本部長	坂部 宗親	元 富士フィルム(株)

**キッズウェル・バイオグループ
とは**

**バイオシミラー事業による安定的な収益基盤を持ち
細胞治療による小児疾患、難病、希少疾患の克服を目指す
研究開発型バイオベンチャー**

**安定的な収益基盤
(バイオシミラー事業)**

**日本市場へのバイオシミラー 4 製品の上市を達成
バイオシミラー事業の売上は引き続き拡大を予測**

**企業価値向上への取り組み
(細胞治療事業)**

**乳歯歯髄幹細胞 (SHED) の基礎研究の大幅な進捗と臨床開発入り、
2025年3月期中の開発パートナー企業との契約締結、
および2026年3月期中の治験申請を目指す**

**成長戦略
- キッズウェル・バイオグループ -**

**バイオシミラーの開発パートナー、
SHED創薬のトップランナーとして
提携製薬企業等と共に企業価値向上の実現へ**

新たな経営体制の下、バイオシミラー事業と細胞治療事業に経営資源を集中投下し、事業推進強化と財務状況の改善、資金調達手段の最適化に向けて始動

バイオシミラー事業

上市済みバイオシミラー	<ul style="list-style-type: none">4製品目となるGBS-010（ペグフィルグラスチムバイオシミラー）の上市達成GBS-007（ラニビズマブバイオシミラー）の追加適応症の取得更なる需要拡大に向けた、運転資金改善のための支払い条件等の調整
新規バイオシミラー	<ul style="list-style-type: none">新規バイオシミラー候補の選定完了とパートナー候補製薬企業等との協議推進

細胞治療（再生医療）事業

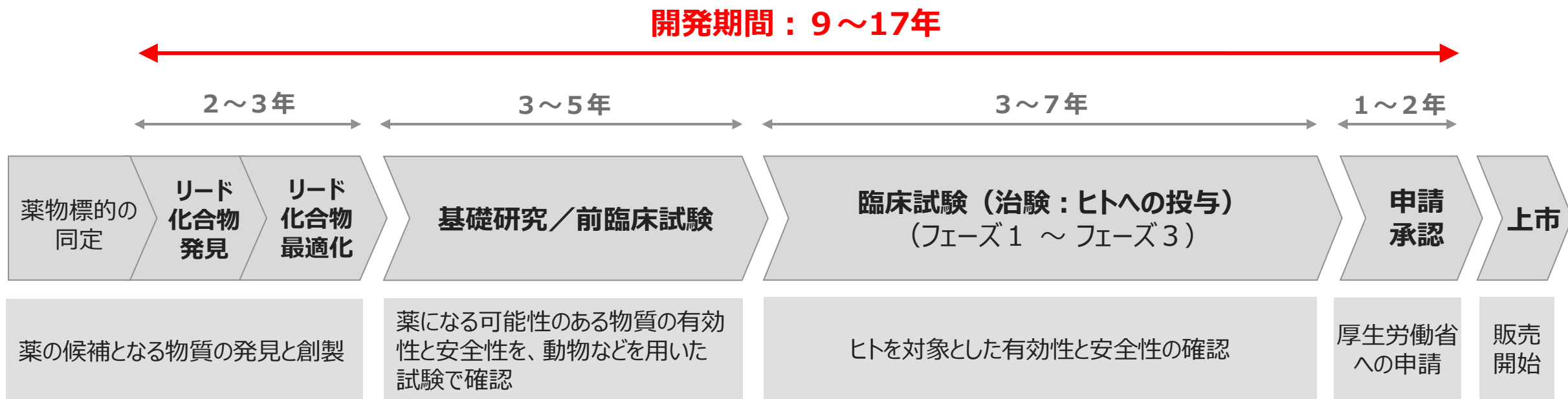
第一世代	<ul style="list-style-type: none">脳性まひを対象として名古屋大学にて自家乳歯歯髄幹細胞（SHED）の臨床研究開始米国FDA基準に準拠した同種（他家）SHEDマスターセルバンク（MCB）製造完了脳性まひを対象とした同種SHEDの治験実施に向けた治験薬製造法の開発完了経営資源の効率的な活用に向けて、開発品の優先順位付けとそれに伴う一部開発品の研究開発中止
次世代	<ul style="list-style-type: none">遺伝子改変SHED等の研究強化を目的として東京ラボを開設
事業体制強化	<ul style="list-style-type: none">細胞治療事業独自での提携・資金調達等に向けた体制構築に着手

経営戦略

IR	<ul style="list-style-type: none">適切な株価形成に向けた、株主・投資家に向けた情報発信の質の向上海外機関投資家向けIR体制の強化
社内体制	<ul style="list-style-type: none">環境の変化に柔軟に対応し持続的に成長するための、組織改革と企業文化の変革による人財活用と組織力の強化

ビジネスモデル -事業内容・市場規模-

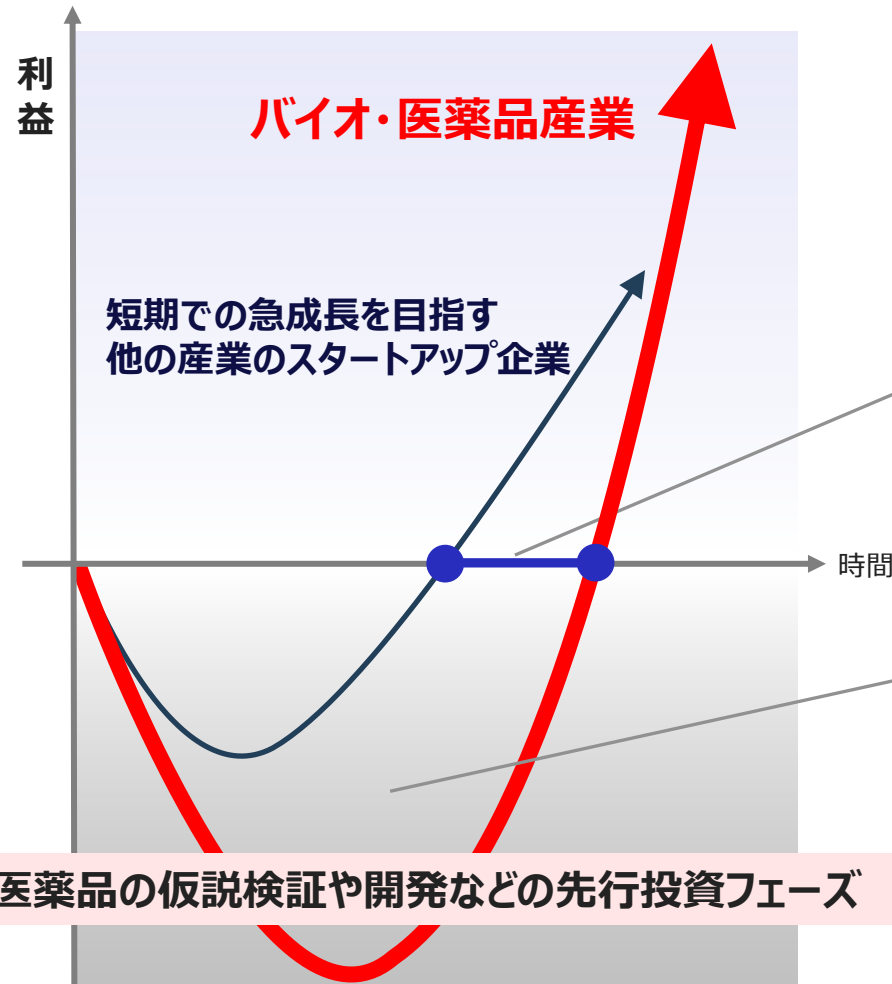
医薬品の研究開発・上市までには、10年以上の時間が必要で長期化の傾向
医薬品産業は医薬品が特許により独占保護されている間に大きな収益を生む産業



知的財産戦略

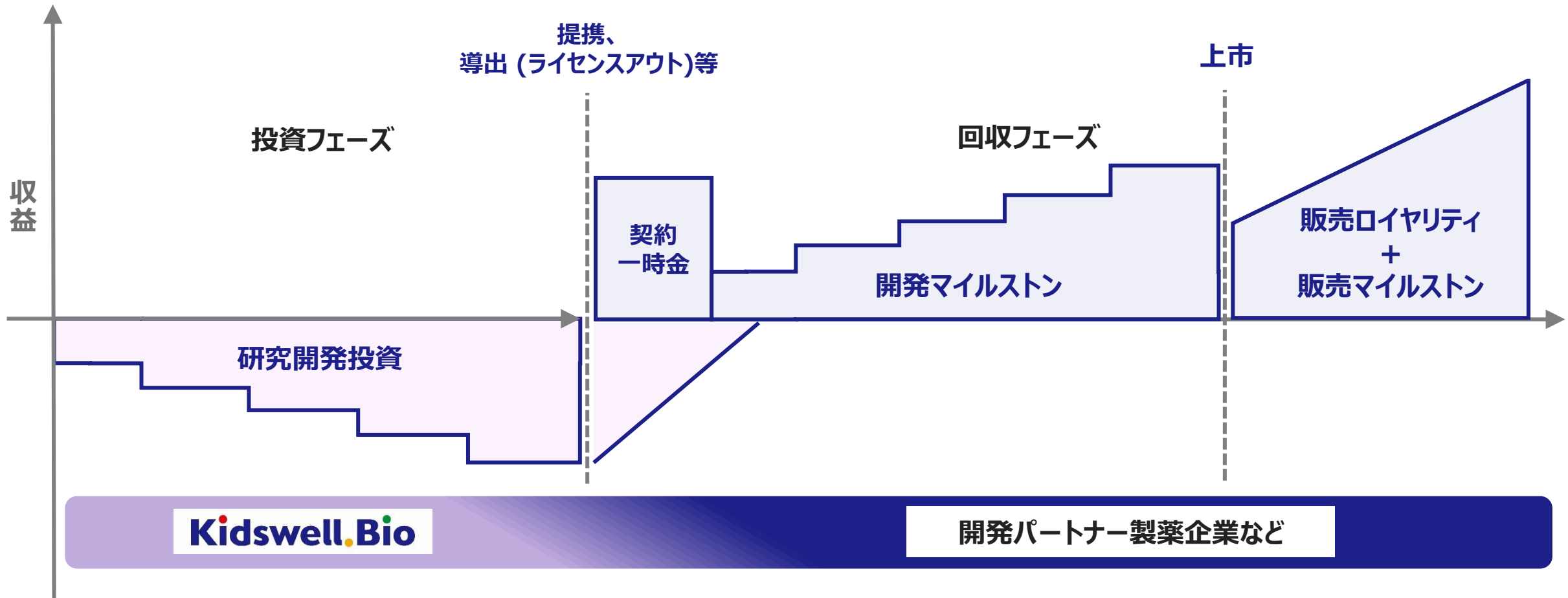
特許権の有効期間：特許出願の日から20年後まで。医薬品分野の特許に関しては特例で最大5年間の延長可能

バイオベンチャー企業は他の産業よりも多額の先行投資と長期の先行投資期間が必要だが、成功に伴う収益は先行投資を大きく上回る



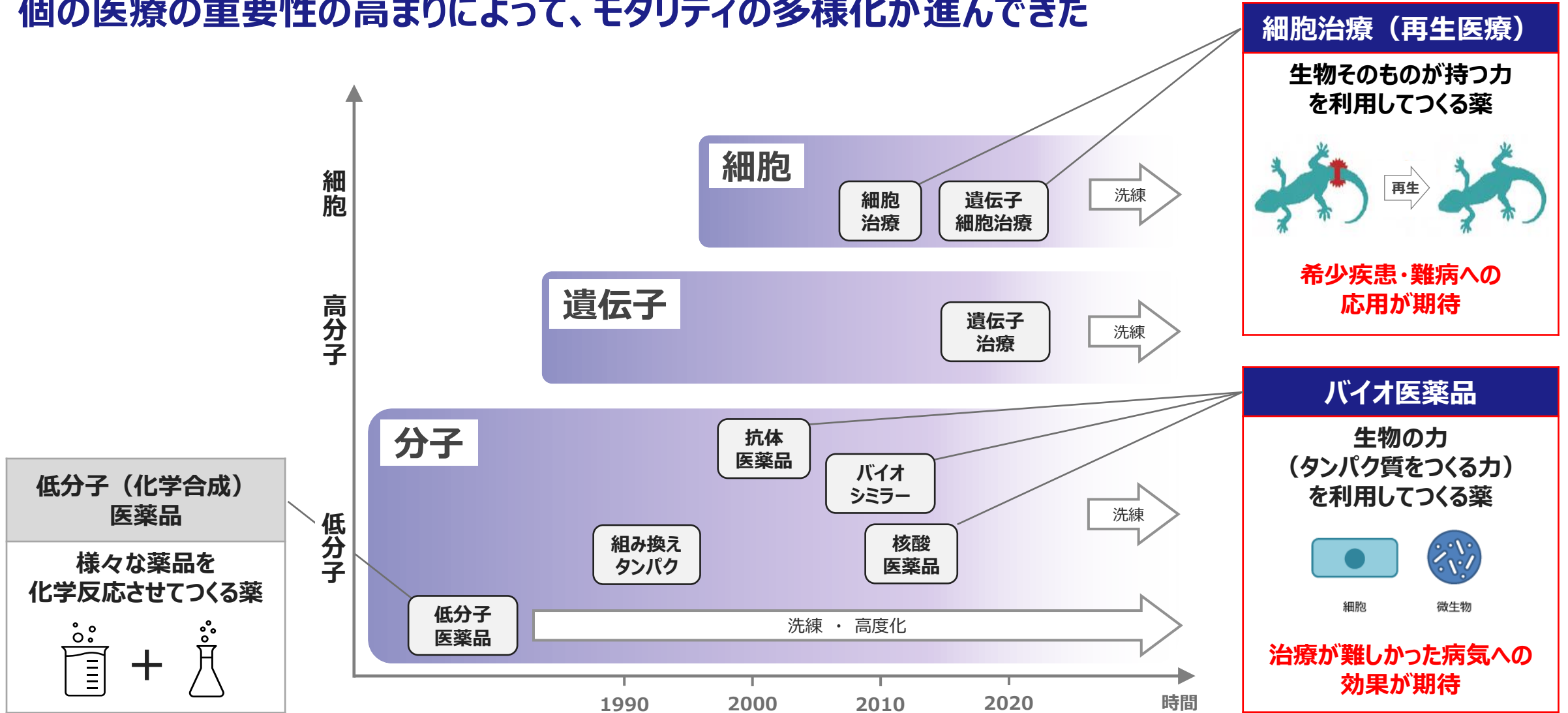
- 先行投資期間は他の産業よりも長いですが、リターンも大きい
- 研究開発が進捗し売上が確保できるまでは、一般的に、株式発行を伴う資金調達によって研究投資を推進

開発パートナー製薬企業等との提携や導出によって、研究開発投資以上の収益獲得に繋がる

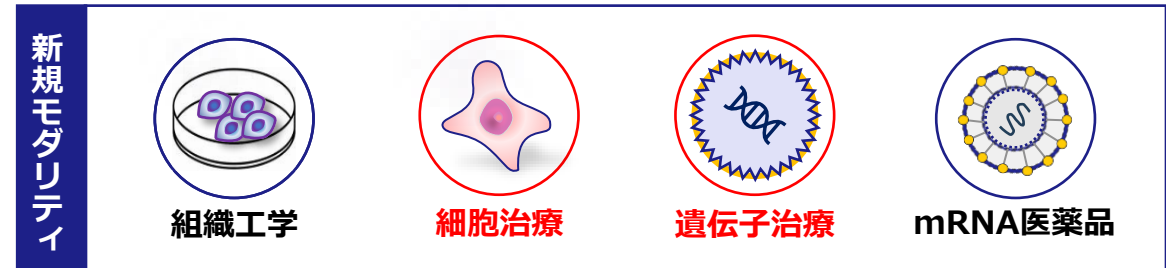
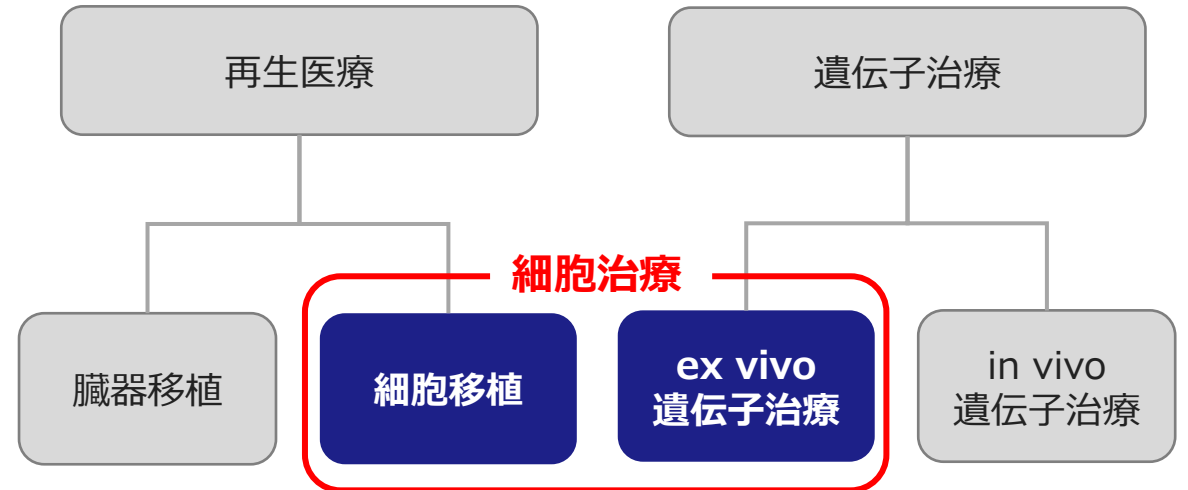
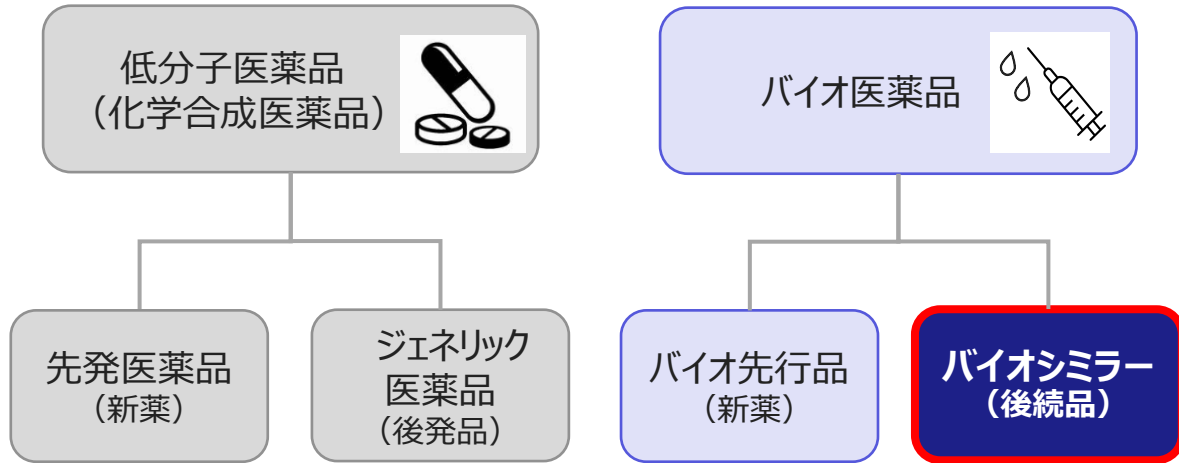


※開発パイプラインに応じて適切な開発体制を構築、上記図は一例

個の医療の重要性の高まりによって、モダリティの多様化が進んできた

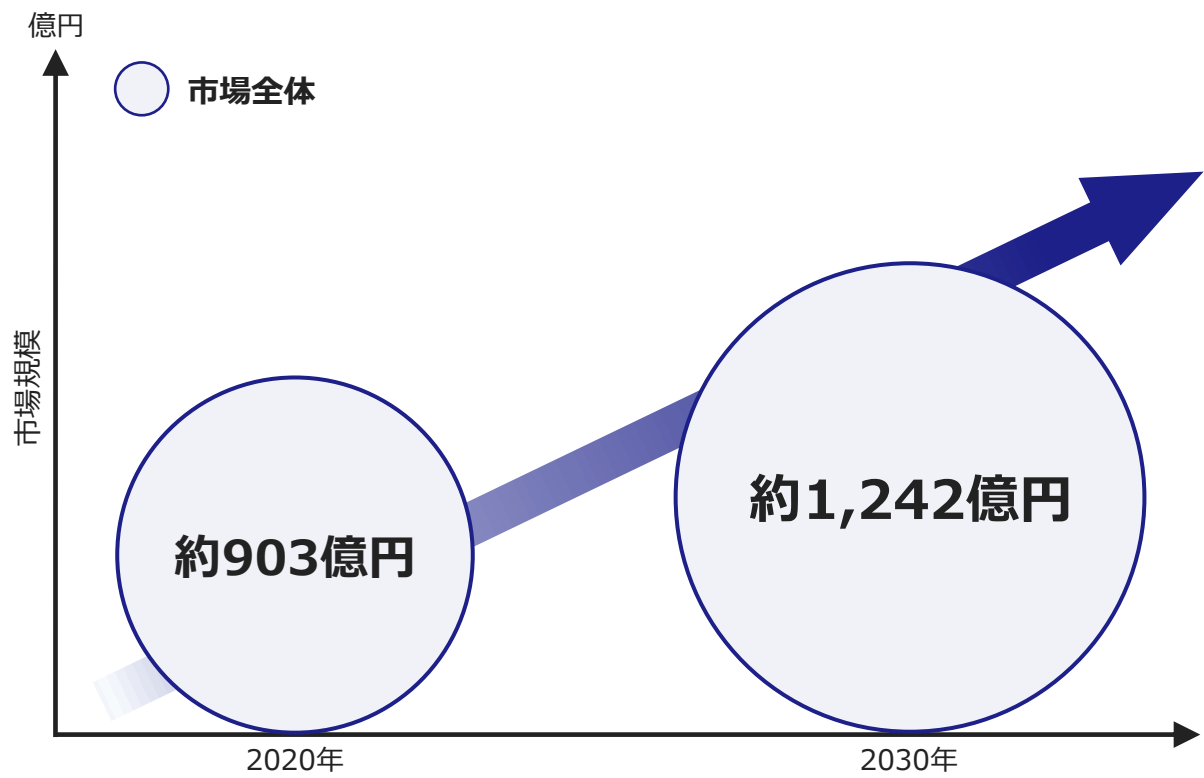


高い収益性及び将来性のある医薬品のモダリティ分野で事業を推進する



バイオ先行品の特許切れ増加に伴い、2030年以降も市場は継続して伸長する可能性

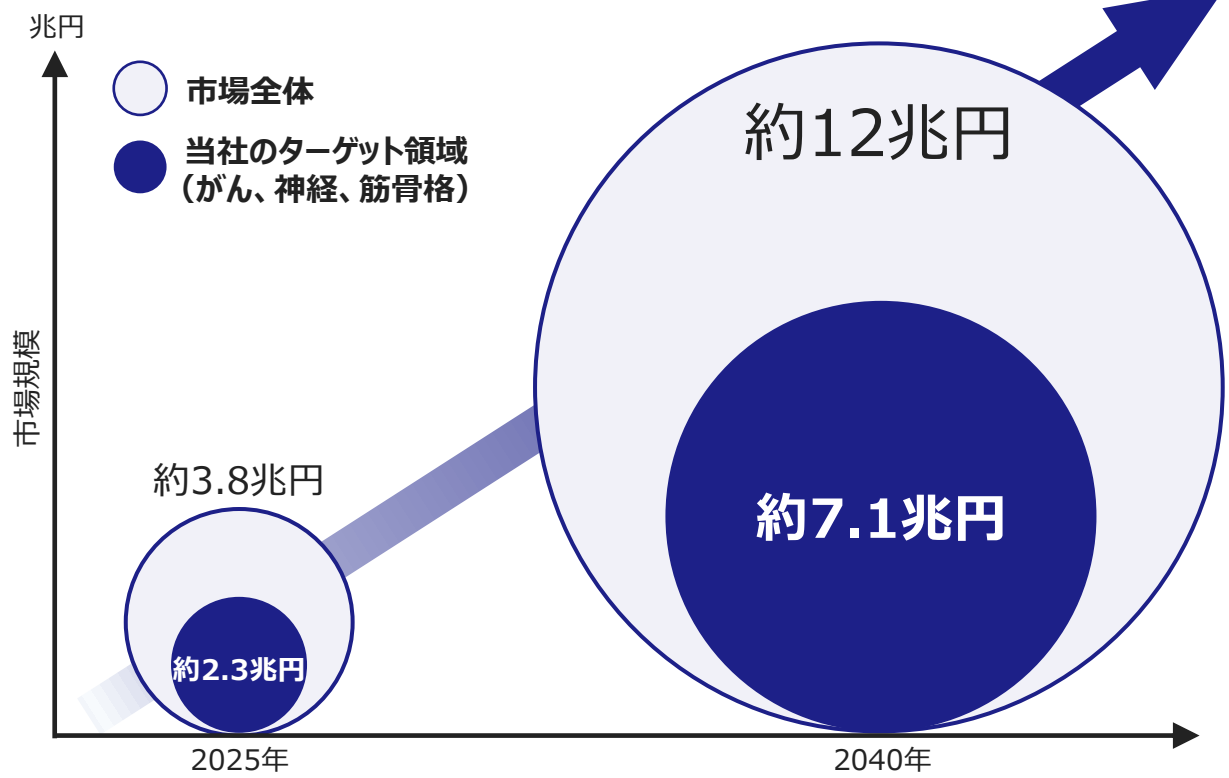
バイオシミラーの市場予測



出所 「2022 バイオシミラー・オーソライズドジェネリック戦略最新GE市場のトレンド分析と将来性」を基に当社作成

再生医療分野（細胞治療・遺伝子治療等）の市場は医薬品市場における成長分野

再生医療分野の市場予測



出所 「2019年度 再生医療・遺伝子治療の市場調査報告書 (AMED調査委託事業)」を基に当社改変

新たなグループ体制（当社／(株)S-Quatre）の下、
将来の企業価値向上に向けた取り組みを追求し、“KIDS WELL, ALL WELL”を実現する

Kidswell.Bio

バイオシミラー事業

- 上市済み4製品の安定供給による収益の最大化
- 新たなバイオシミラーの開発によって更なる事業の拡大を目指す（5製品目以降の開発）

S-Quatre

細胞治療事業（再生医療）

- SHEDの安定供給プラットフォーム「S-Quatre®」を基盤とした事業展開の強化
- SHEDによる細胞・遺伝子治療製品等の早期創出を目指す

- 既存事業ポートフォリオについて研究・開発の進捗及び事業性を踏まえ優先順位の見直しを実行
- 同時に、経営資源を集中すべき研究開発項目として2024年度以降の中長期成長に資する項目を選択

抗体医薬 (バイオシミラー)

上市済み製品	対象疾患	パートナー製薬企業
GBS-001 (フィルグラスチムBS)	がん	富士製薬工業(株)
GBS-007 (ラニズマブBS)	眼疾患	千寿製薬(株)
GBS-010 (ペグフィルグラスチムBS)	がん	持田製薬(株)
GBS-011 (ダルベポエチンアルファBS)	腎疾患	(株)三和化学研究所
GBS-012 (アフリベルセプトBS)	眼疾患	癸巳化成(株)

- 2023年末までに4品目のバイオシミラーがパートナー企業により上市を達成
- この状況に鑑みて、同時期に並行開発していたポートフォリオについては開発を中止（GBS-004、GBS-005、GBS-008については開発中止）したため、本資料からは削除
- 2024年度以降は、現在のバイオシミラー製品の売上ピーク時期を見越した新規バイオシミラーの開発へ注力する。

※ 新規抗体医薬の開発については、進捗に鑑みて全プロジェクトについて開発を中止を決断し、本資料から削除、2023年末時点で良好なデータが得られている一部のPJは導出または共同研究先でのさらなる研究利用を予定

細胞治療 (再生医療)

開発品	対象疾患	開発Phase	パートナー
第一世代	脳性まひ	臨床	名古屋大学 東京医科歯科大学
	腸管神経節細胞僅少症	前臨床	持田製薬(株)
	骨疾患	探索	北海道大学
次世代	脊髄損傷	探索	名古屋大学
	脳腫瘍	探索	浜松医科大学

- 骨疾患は、総合せき損センターを含む3者共同から変更
- ORTHOREBIRTHとの口唇口蓋裂症、その他アカデミアとの末梢神経麻痺、眼科疾患の共同研究については、2024年3月時点において、事業ポートフォリオとしての開発優先順位を低くし契約を終了したため本資料からは削除

業務提携

カイオム

ニコン

住商ファーマ

アイル

メトセラ

- SOLA、CHROMOCENTER、GPCとの契約は、CHROMO社の事業再生手続きの影響により解除
- 既存の第1世代へと基礎研究への投資を優先することで事業成長を目指すため、同仁との提携は解除

バイオシミラー事業

低分子医薬品とバイオ医薬品の違い

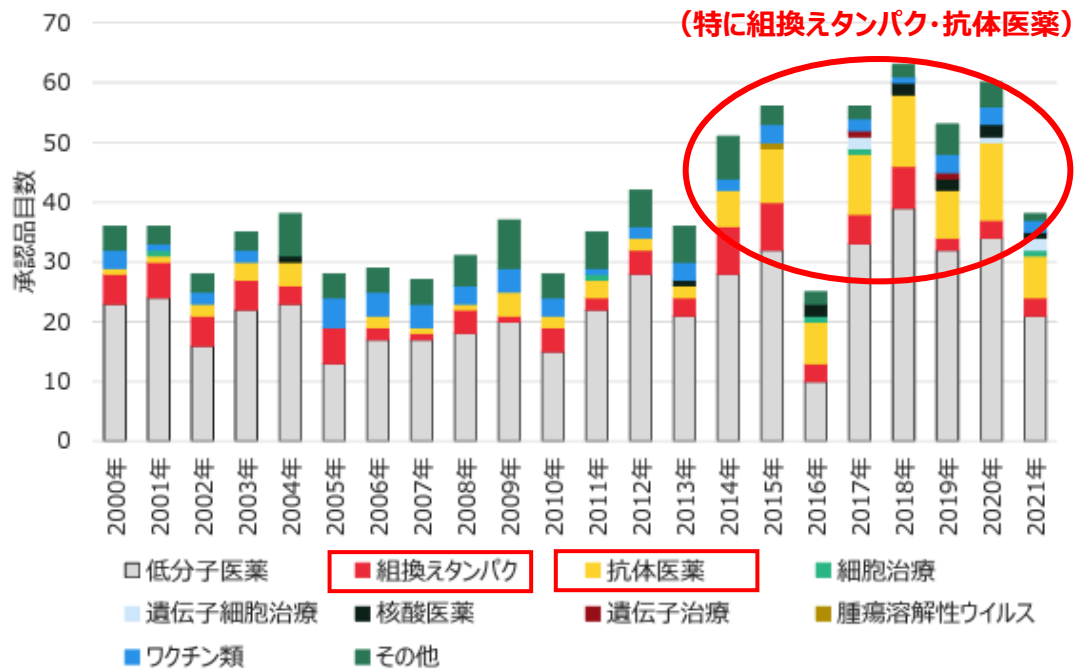
	低分子医薬品	バイオ医薬品
	化学合成	細胞で生産
製造方法		
製造工程	コントロール可能	コントロール困難
製造コスト	安価	高額
効果・安全性	—	高い (化学合成医薬品との比較)
薬価	比較的低い	高額
研究開発・上市	—	高度な技術・ノウハウが必要 (化学合成医薬品との比較)
剤形 (投与方法)	錠剤など	主に注射剤
構造	比較的単純	複雑
品質	比較的一定	変わりやすいため 適切な品質管理が必要

ジェネリック医薬品とバイオシミラーの違い

	ジェネリック医薬品 (低分子医薬品)	バイオシミラー (バイオ医薬品)
先発/先行医薬品	化学合成医薬品 (低分子医薬品)	バイオ医薬品
先発/先行医薬品 との成分比較	同一であること	同等性/同質性 (類似性)
製造コスト	安価	高額
薬価	先発品の50%	先行品の70%
剤形	錠剤など	主に注射剤
製造販売後調査	原則 実施しない	原則 実施する

- バイオ医薬品の承認数は増加しており、特許・再審査期間満了を迎える先行バイオ医薬品が今後増加する
- そのため、医薬品市場へのバイオシミラー参入機会が継続的に発生することが見込まれる

特許切れ
(特に組換えタンパク・抗体医薬)



FDAにおけるモダリティ別承認品目数 (海外) ※

- 高額な先行バイオ医薬品からバイオシミラーへの置き換えを促進する政府目標により、今後バイオシミラー市場の拡大が見込まれる

医療費抑制策：

- 2029年度末までに**バイオシミラーに80% (※1) 以上置き換わった成分数を全体の成分数の60% (※2) 以上**にすることを目指す

(※1：数量ベース、※2：成分数ベース)

出所：「経済財政運営と改革の基本方針2022」

バイオシミラーへの置き換えに対するインセンティブ付与：

- 医療機関に対し、バイオシミラー使用に加算を設定し置換を促進

- 多くの国内製薬企業が低分子医薬品を中心とする事業を推進する中で、当社はグローバル製薬企業が主力とするバイオ医薬品において経験・ノウハウ蓄積、人財育成を推進
- パートナー製薬企業による臨床開発が実施されたバイオシミラーは、4品目全て国内市場において一番手のバイオシミラーとして上市

GBS-001

フィルグラスチムバイオシミラー
(2012年11月：承認取得)



- 好中球減少症等に用いられるG-CSF製剤フィルグラスチムのバイオシミラー

GBS-011

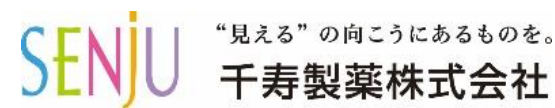
ダルベポエチンアルファバイオシミラー
(2019年9月：承認取得)



- 持続型赤血球造血刺激因子製剤ダルベポエチンアルファのバイオシミラー

GBS-007

ラニズマブバイオシミラー
(2021年9月：承認取得)



- 抗VEGF抗体薬ラニズマブのバイオシミラー
- 販売好調、想定を超える受注
- **網膜静脈閉塞症に伴う黄斑浮腫の追加適応症の承認取得によりバイオ先行品の主要な適応症をカバー (2023年9月)**

GBS-010

ペグフィルグラスチムバイオシミラー
(2023年9月：承認取得)



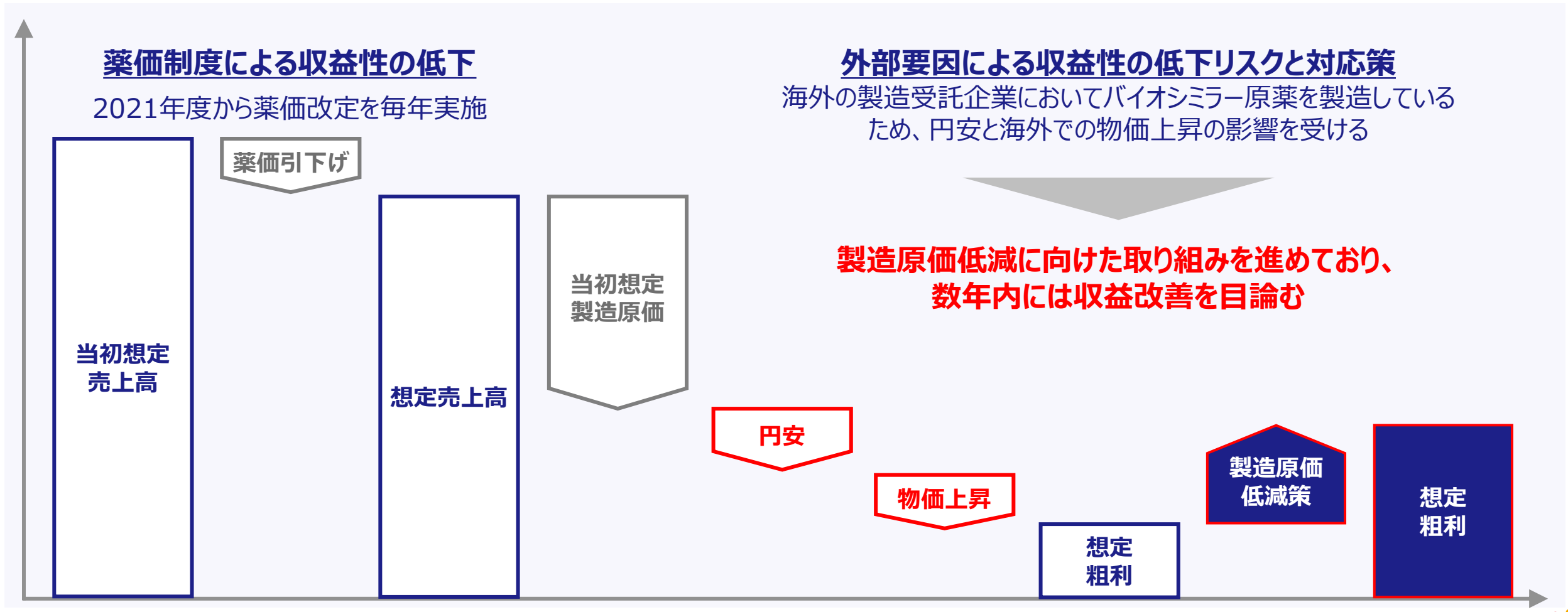
- 持続型G-CSF製剤ペグフィルグラスチムのバイオシミラー
- 2023年9月時点で競合他社によるバイオシミラーの承認はなく単独での承認取得

- 当社が開発したGBS-001、GBS-011は、先行品からバイオシミラーへの置き換え率（BSシェア）が数量ベースで80%を超えている（他社によるバイオシミラーを含むBSシェア）
- GBS-007、GBS-010は、現時点で競合品の承認はなく、今後のシェア拡大が期待される

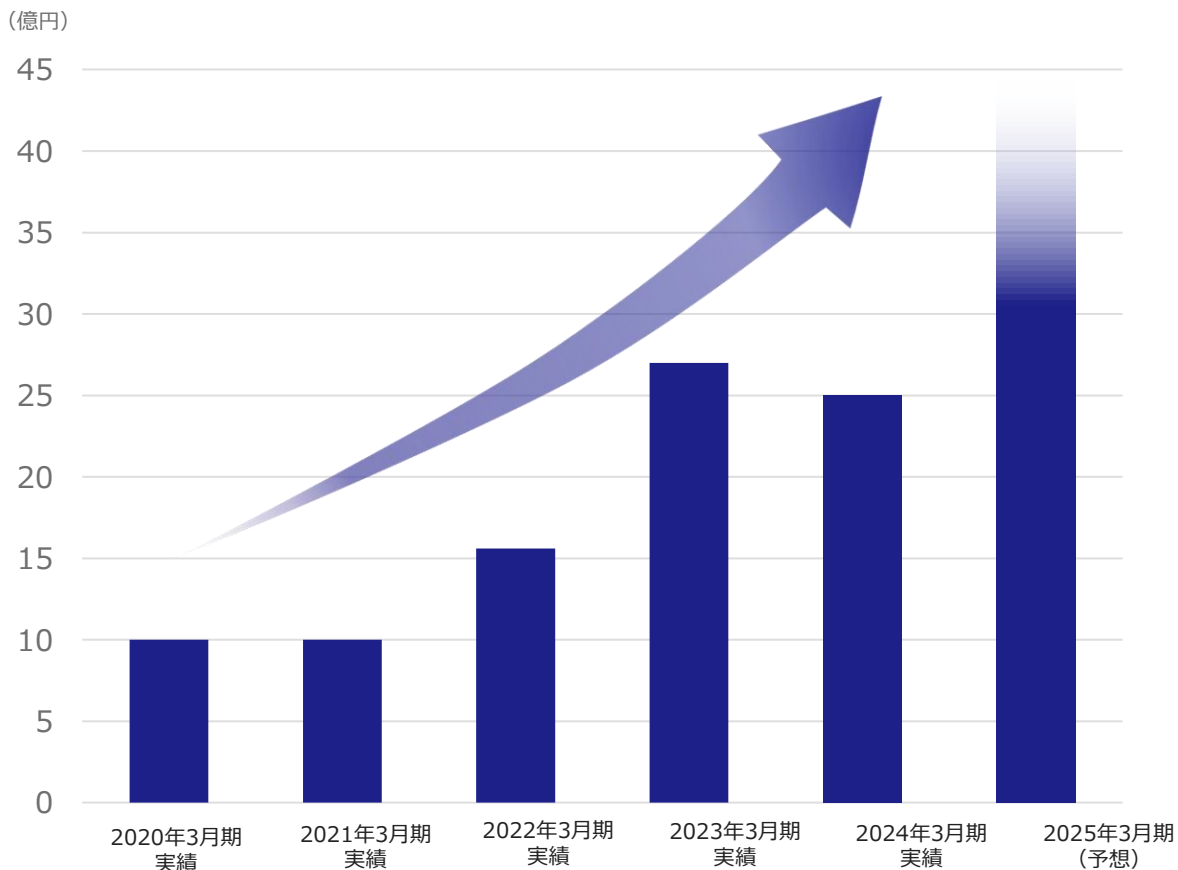
国内で承認されたバイオシミラー一覧（全19製品） ※2024年6月末時点

	バイオシミラー（BS）	先行バイオ医薬品	BS承認年月
	1 アフリベルセプトBS	アイリーア硝子体内注射液	2024年6月
競合BS がない	2 ウステキヌマブBS	ステラーラ皮下注	2023年9月
	3 パグフィルグラスチムBS（GBS-010）	ジーラスタ皮下注	2023年9月
競合BS がない	4 ラニビズマブBS（GBS-007）	ルセンティス硝子体内 注射用	2021年9月
	∴ ∴ ∴	∴ ∴ ∴	∴ ∴ ∴
BSシェア 80%超	8 テリパラチドBS	フォルテオ皮下注	2019年9月
	9 ダルベポエチンアルファBS（GBS-011）	ネスブ注射液	2019年9月
BSシェア 80%超	∴ ∴ ∴	∴ ∴ ∴	∴ ∴ ∴
	16 インフリキシマブBS	レミケード点滴静注用	2014年7月
	17 フィルグラスチムBS（GBS-001）	グラン注射液	2012年11月
	18 エポエチンアルファBS	エスポー注射液	2010年1月
	19 ソマトロピンBS	ジェントロピン	2009年6月

原価率低減施策の推進などにより収益力改善への取り組みを推進 外部環境の変化にも耐えうる収益基盤の形成に取り組む

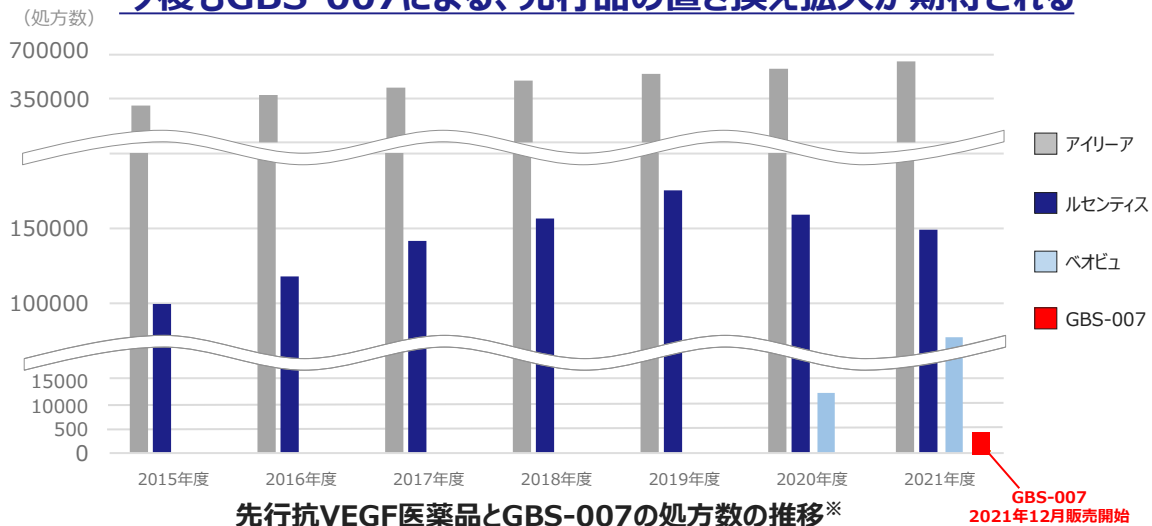


2023年9月に、GBS-010の承認とGBS-007の適応症追加を達成した影響を受けて、今期以降、更なる収益拡大が見込まれる



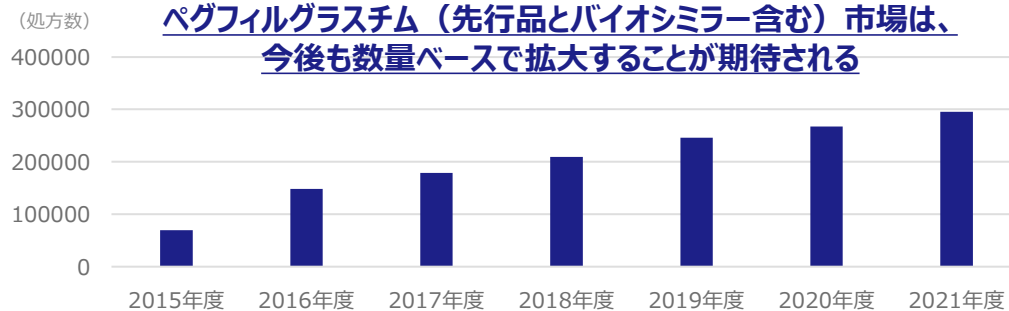
バイオシミラー事業の売上高推移

今後もGBS-007による、先行品の置き換え拡大が期待される



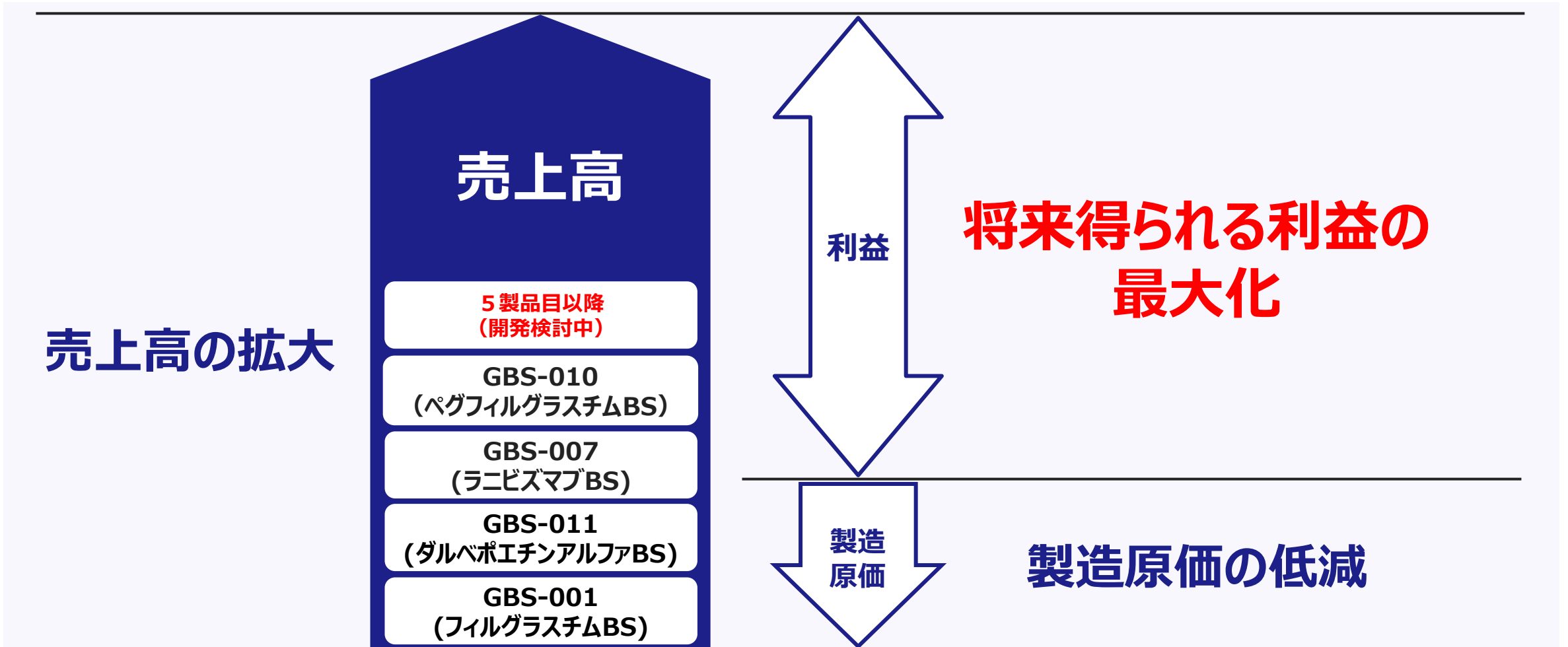
先行抗VEGF医薬品とGBS-007の処方数の推移※

ペグフィルグラスチム（先行品とバイオシミラー含む）市場は、今後も数量ベースで拡大することが期待される



先行品（ジールスタ）の処方数の推移※

上市済製品の売上最大化、収益性改善策実施、更なるプロジェクトの立ち上げにより、
バイオシミラー事業からの利益を最大化し、成長投資資金を獲得する



開発品	対象疾患	研究	臨床試験		上市	承認年月	提携先
			Phase 1	Phase 3			
GBS-001 フィルグラスチム	がん	[Progress bar]				2012年11月	富士製薬工業(株)
GBS-007 ラニズマブ	眼疾患	[Progress bar]				2021年9月	・千寿製薬(株) ・Ocumension Therapeutics
GBS-011 ダルベポエチンアルファ	腎疾患	[Progress bar]				2019年9月	(株)三和化学研究所
GBS-010 ペグフィルグラスチム	がん	[Progress bar]				2023年9月	持田製薬(株)
GBS-012 アフリベルセプト	眼疾患	[Progress bar]				—	癸巳化成(株)
新規バイオシミラー	—	[Progress bar]				—	(株)カイオム・バイオサイエンス

※GBS-004、GBS-005、GBS-008の開発につきましては、以下を理由に開発を中止。

- ・ 競合他社の開発動向や市場性、現在の薬価等の状況
- ・ 企業価値の最大化と株価の回復・成長の早期実現を目的に、経営資源の最大活用と開発パイプラインの選択と集中を実施（詳細はP.18を参照）

S-Quatre

Power of child's stem cells to fight incurable diseases

細胞治療事業

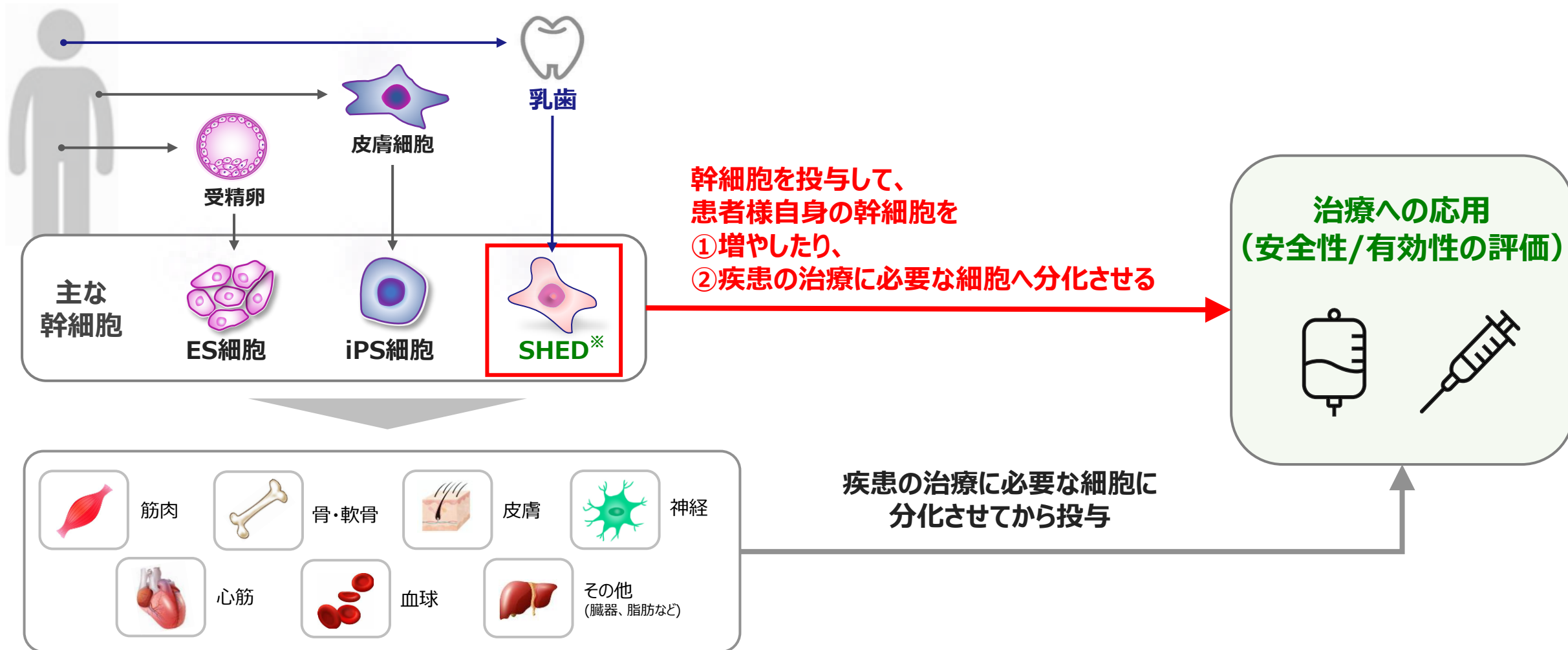
株式会社S-Quatre
キッズウェル・バイオ グループ

© 2024 S-Quatre Corporation.



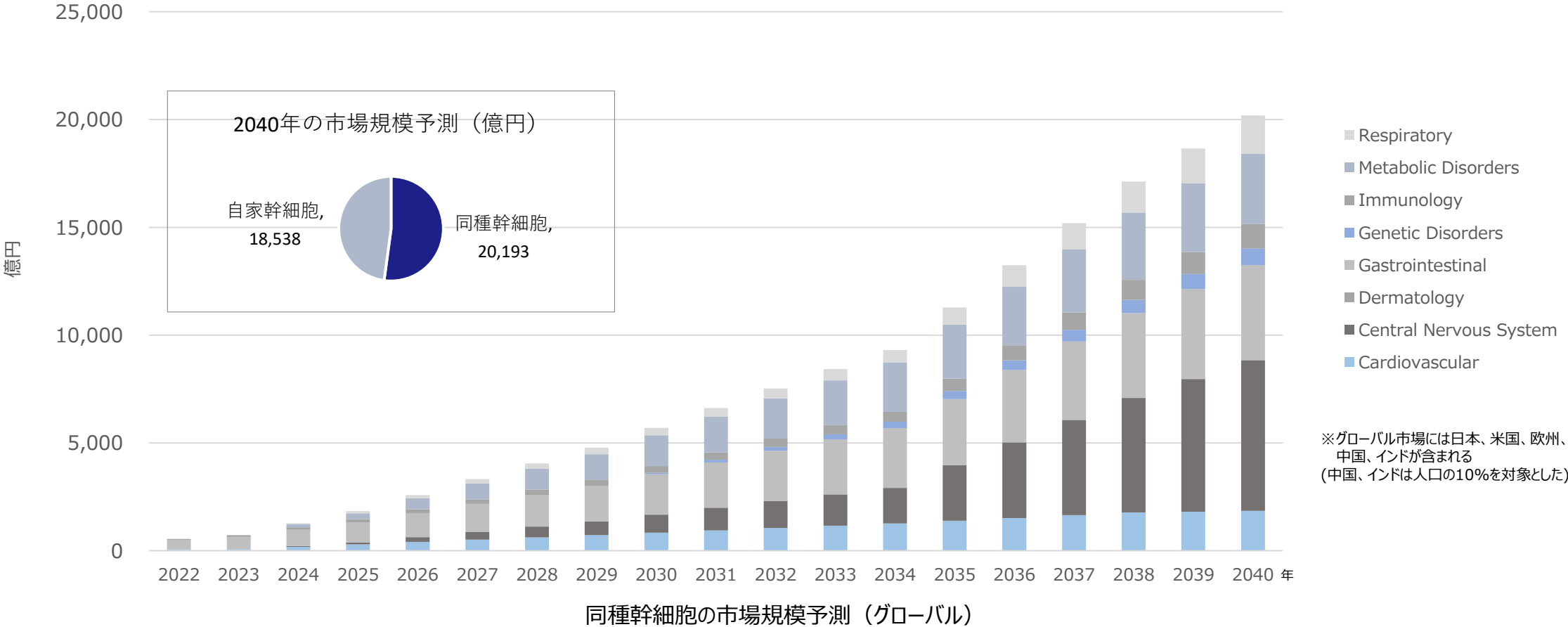
細胞治療（再生医療）とは

細胞治療・再生医療は疾患の根本治療、希少疾患や難病への新たな治療薬として開発が期待される



※SHED: Stem cells from Human Exfoliated Deciduous teeth (乳歯歯髄幹細胞)

当社が注力する同種幹細胞の市場規模は2040年にはグローバルで **2兆円規模**の市場に成長



出所：「日本医療研究開発機構ホームページ 2019年度再生医療・遺伝子治療の市場調査 最終報告書」、「GlobalData、疫学文献、希少疾患の情報サイト (Orphanet, NORD, 難病情報センター)」、「Clinical Development Success Rates 2006-2015, BIO Industry Analysis」、「中医協総会資料」を基に当社調べ

“Create New Cell Therapies for Intractable Diseases with the Power of Child’s Stem Cells”

脳性まひ



(DOI:10.1302/0301-620X.85B2.14066)



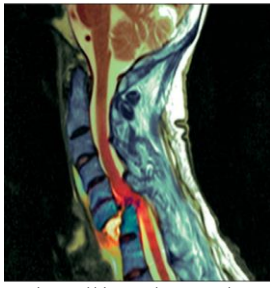
(FOUNDATION PARALYSIS CEREBRALE “White Paper on cerebral palsy”)

腸管神経節細胞僅少症



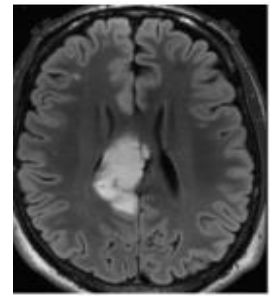
(DOI: 10.7759/cureus.33680)

脊髄損傷



(DOI:https://doi.org/10.1016/S1474-4422(09)70162-0)

脳腫瘍



(DOI: 10.3390/cancers11010111)

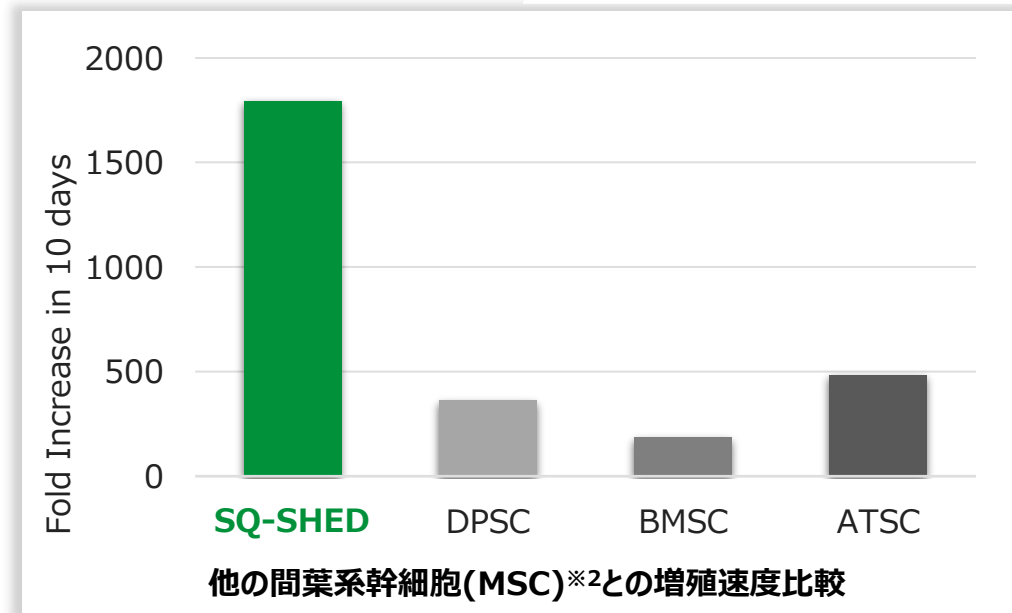
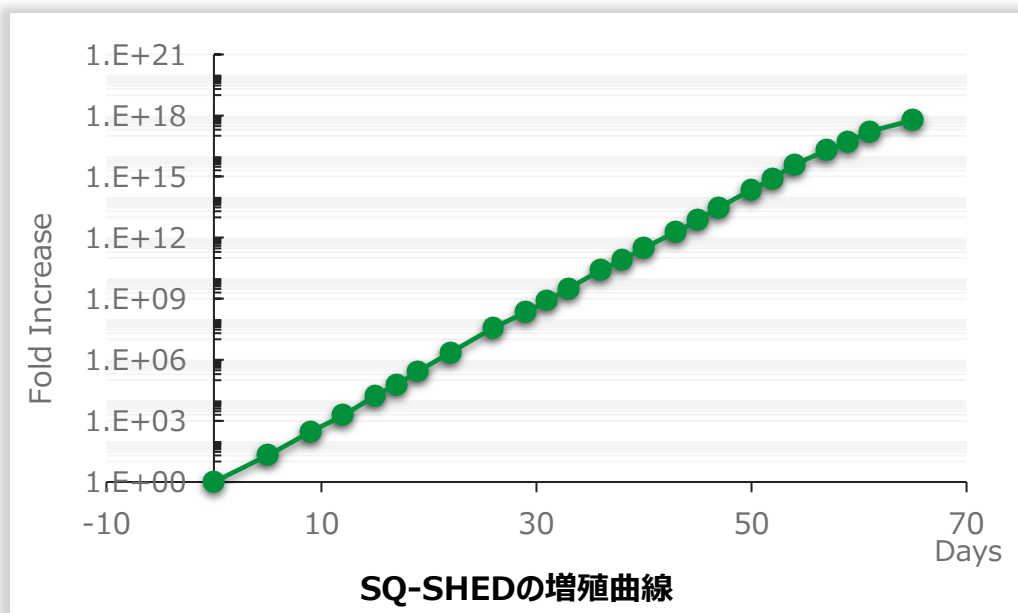
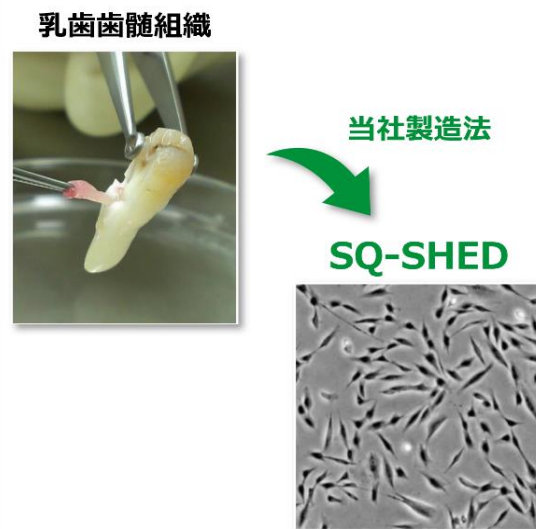
会社概要

商号	株式会社S-Quatre (エスカトル)	
所在地	本社	東京都中央区新川一丁目2番地12号
	研究所	札幌研究所 (北海道大学内) 東京ラボ (三井リンクラボ新木場2)
設立	2024年4月1日	
資本金	5,000千円	
代表取締役社長 取締役 監査役	三谷 泰之 川上 雅之、紅林 伸也 菅原 治	
グループ会社	キッズウェル・バイオ株式会社	
コア事業	新規細胞治療法 (再生医療) の研究開発、 および医療用原料細胞の提供事業	

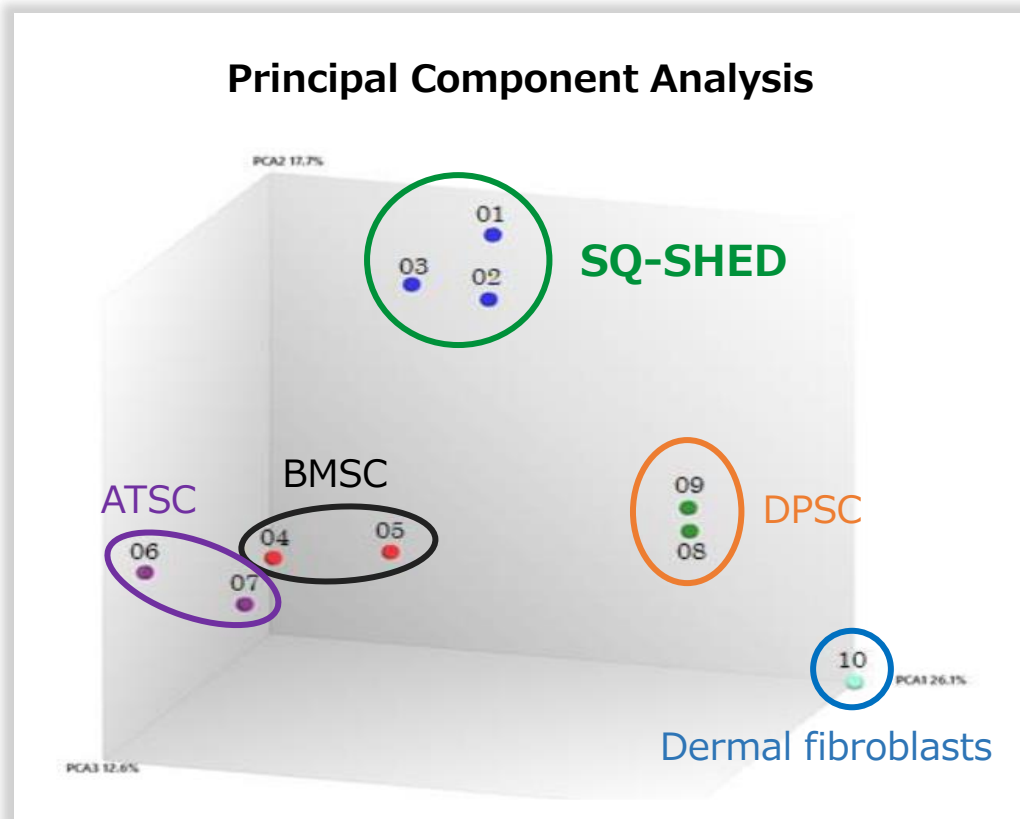
乳歯歯髄幹細胞 (SHED) とは

乳歯歯髄幹細胞 (SHED^{※1}) とは

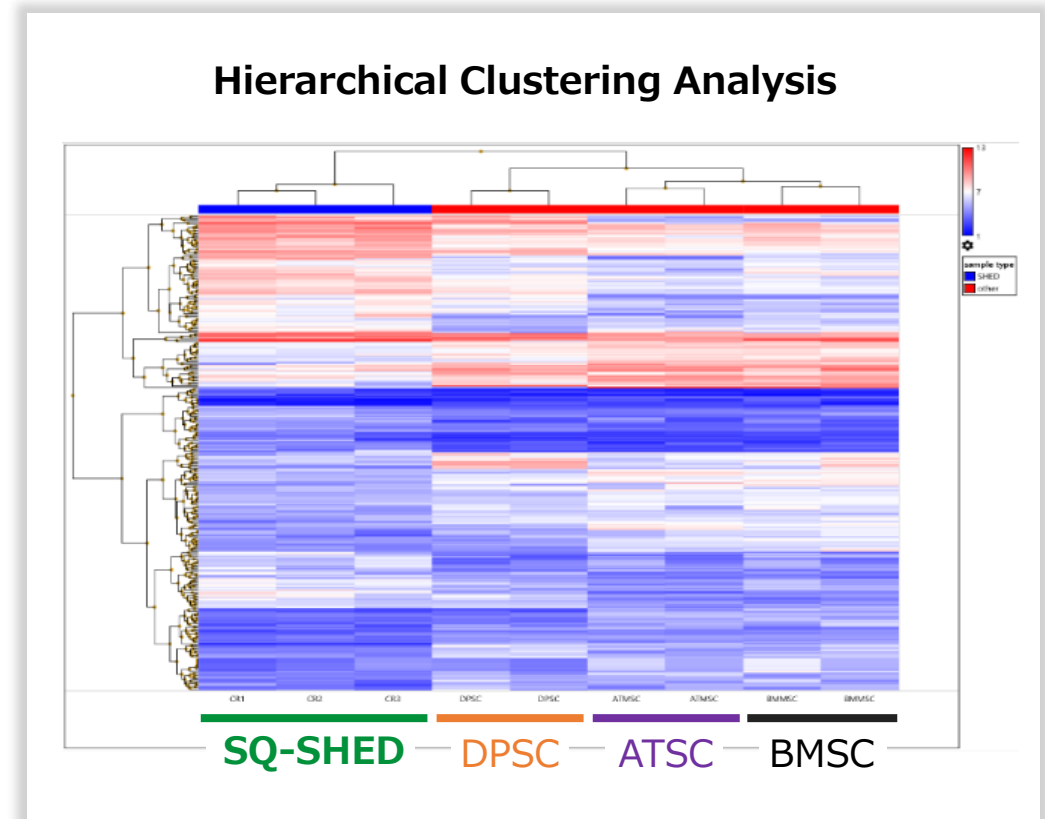
- 神経堤細胞を由来とする歯髄組織から単離・培養された間葉系幹細胞 (MSC) で、**神経再生に重要な栄養因子を豊富に産生する**
- 小児の組織由来で細胞が若いいため、**増殖能が高く、同種製剤として大量製造が可能**
- 原料乳歯の採取機会は豊富で、**国内で安定的に入手可能**
- **当社製造法によるSHED (SQ-SHED) は増殖速度、栄養因子産生量が特に高い** (特許出願中)



- SQ-SHEDは、他の間葉系幹細胞（MSC）とは大きく異なる遺伝子発現パターンを示す
- 遺伝子オントロジー解析の結果、**神経成長**、**血管新生**、**細胞遊走**に関連する遺伝子群の発現が特に高い



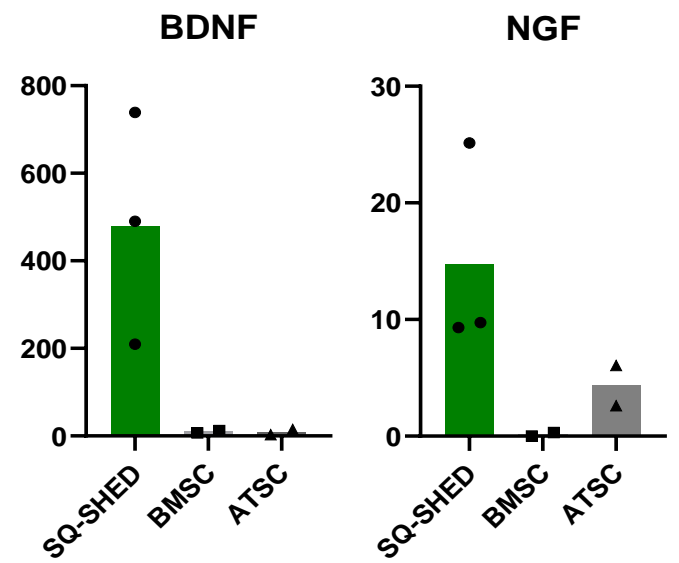
各ドットは異なるドナー



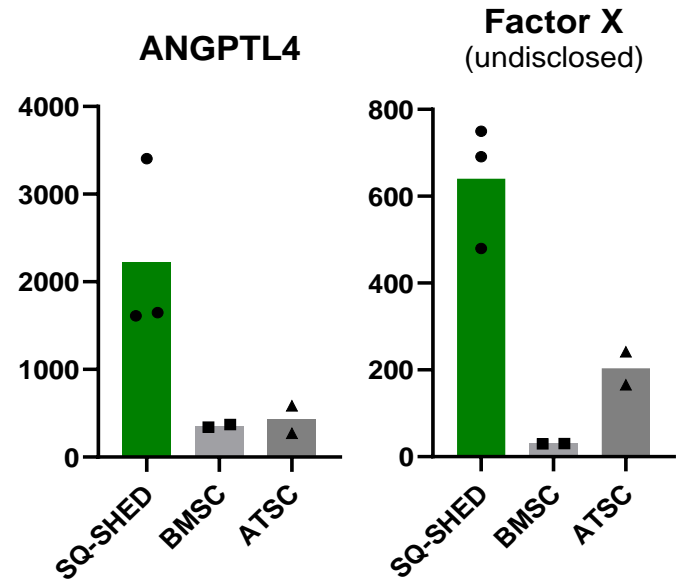
DPSC: 永久歯由来歯髄幹細胞、BMSC: 骨髄由来MSC、ATSC: 脂肪組織由来MSC

SQ-SHEDは他のMSCと比較し、蛋白レベルにおいても、①神経成長、②血管新生、③細胞遊走に関連する栄養因子の産生量が特に高い

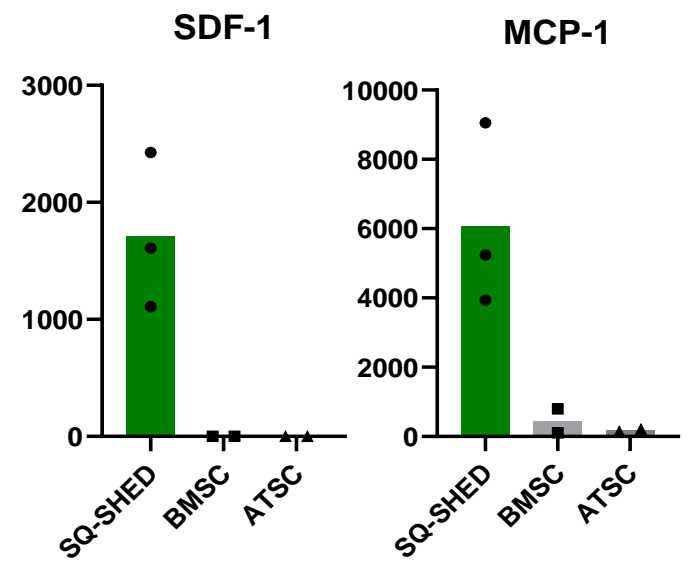
① 神経成長



② 血管新生



③ 細胞遊走

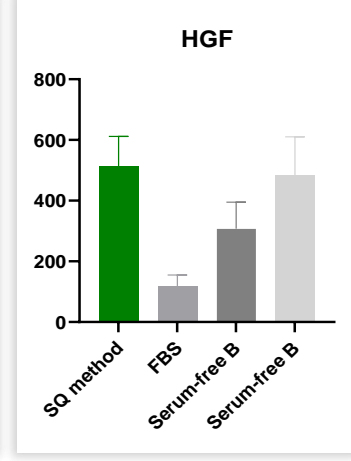
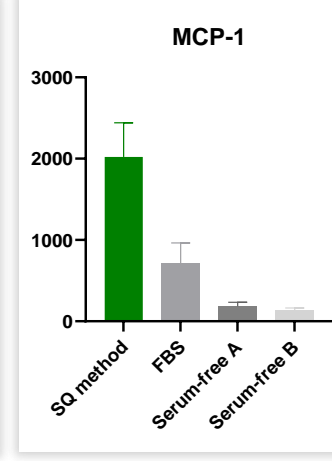
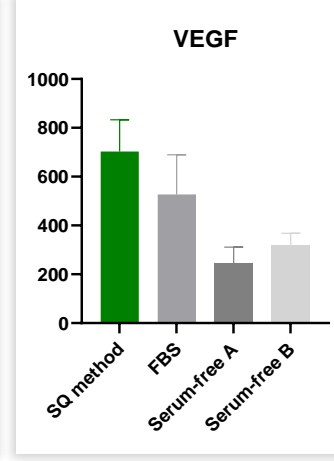
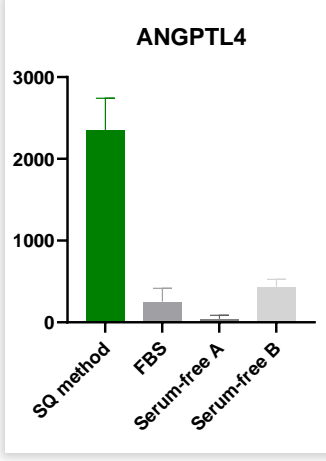
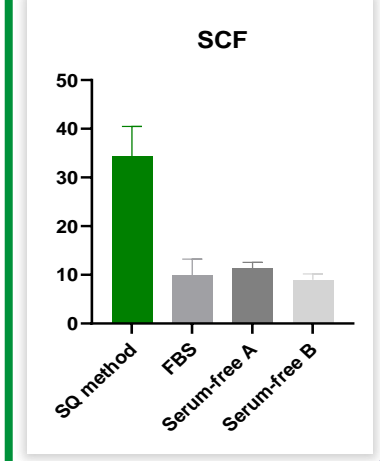
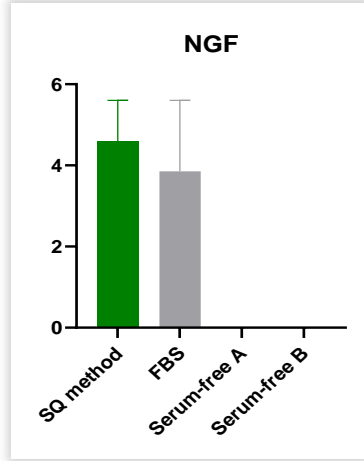
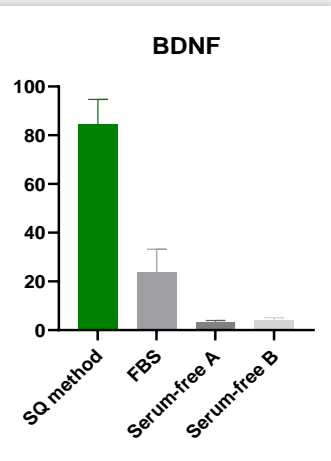


※各ドットは異なるドナー

SQ-SHEDは、FBSや他の市販培地で培養したSHEDと比較して、①神経成長、②血管新生、に関連する栄養因子の産生量が高い

神経成長

②血管新生



乳歯ドナーの募集からマスターセルバンク製造までの一気通貫システムを確立（安心・安定・純国産）

ドナー候補様の健康状態確認 歯科/口腔外科での抜歯

東京大学附属病院
昭和大学歯科病院

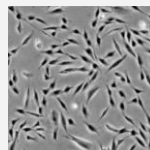
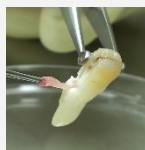
- 同意説明と同意取得
- ドナースクリーニング（診査・検査）
- 動揺乳歯の抜歯



GMP基準下での マスターセルバンク製造

(株)ニコン・セル・イノベーション
(CDMO)

- 抜去歯からの細胞単離・培養
- マスターセルバンクの製造



マスターセルバンク



S-Quatre®

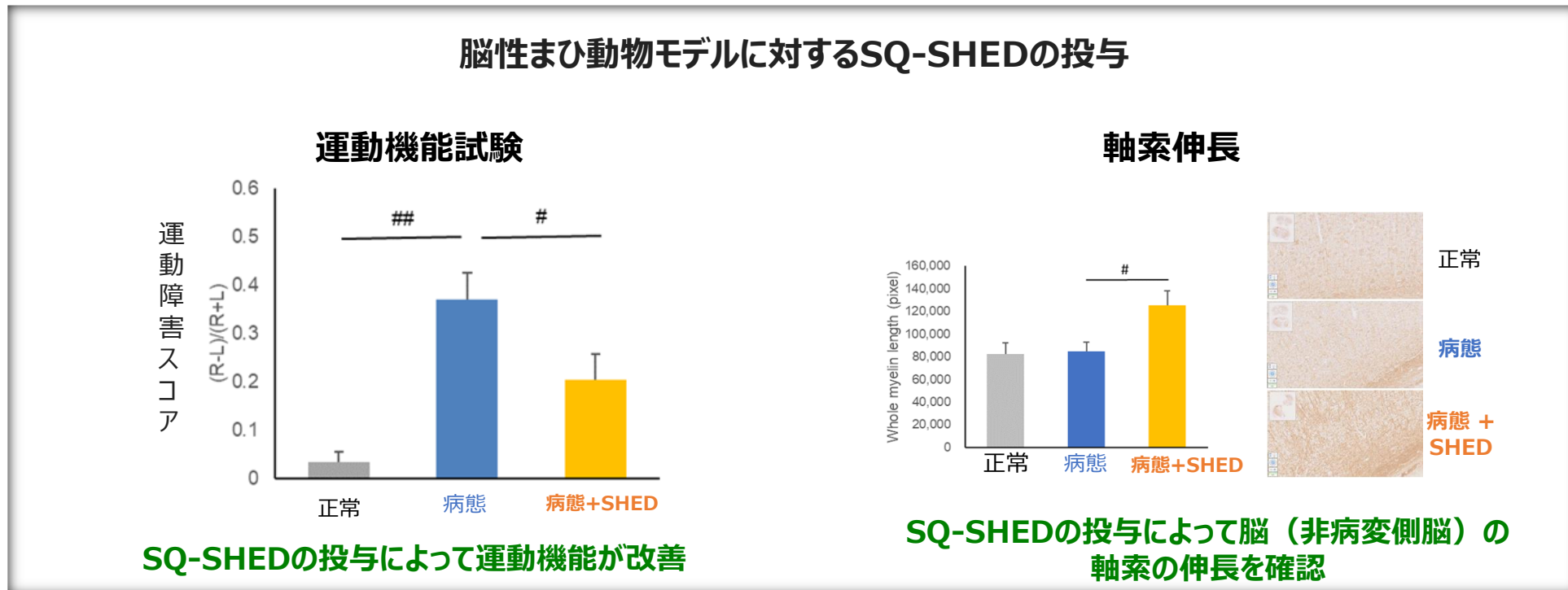


乳歯ドナー候補様の安定募集

- 同種/臨床用/商用SHEDマスターセルバンク
- 経産省「ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイドランス」に準拠
- 東大倫理委員会にて承認
- GMP/GCTPに適合
- FDA基準に適合

SHEDの基礎研究・前臨床試験のデータを豊富に蓄積しSHEDを深く理解

- 高度な技術とノウハウが必要とされる細胞治療薬の製造において、SHEDの安定供給体制を確立
- さらに、当社製法で製造したSQ-SHEDの優位性を確認し特許出願
- SQ-SHEDの特徴を活かした開発対象疾患の選定し、**脳性まひ**をターゲットに臨床開発が進行中



- 受胎から新生児期までの間に生じた脳の非進行性病変に基づく永続的なしかし**変化する**運動および姿勢の異常※1



(From White Paper on Cerebral Palsy 2021, French CP Foundation)

発生率

- 出生500人に1人
- 国内患者数 7.8万人※2（うち2.4万人は18歳未満）
- 三極患児数 24万人※3（10歳以下）

急性期（出生直後）

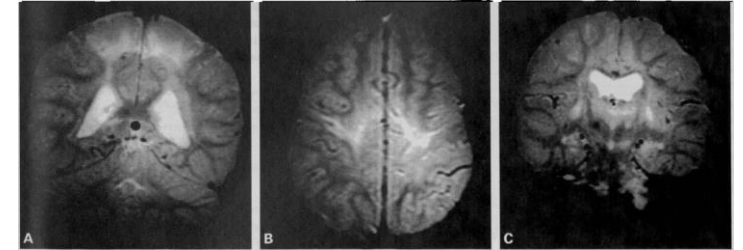
新生児仮死など低酸素性虚血性脳症（HIE）が疑われる児に対し、脳性麻痺を防ぐ目的で低体温療法が施されるが、効果は十分でない。自家臍帯血幹細胞投与などが検討されている

遠隔期（慢性期）

脳性麻痺が確定した後は、各種リハビリテーションが行われるが、確立された治療法はなく、新しい治療法が望まれている。痙縮に対してはボツリヌス療法が行われることもある。

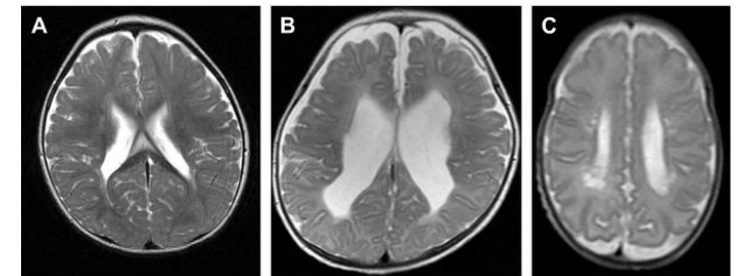
※出生時に異常が見られなくても、成長過程で脳性麻痺が判明することも少なくない

Parasagittal cerebral injury



Campistol et al. *J child neurol* 1999

脳室周囲白質軟化症（PVL）



Imamura et al. *Ped Neonatol* 2013

遠隔期であれば、
同種SHEDだけでなく、
自家SHEDによる治療も可能

臨床開発ステージに入り、企業治験入り準備も順調に前進
開発パートナー候補企業とは2025年3月期中の契約締結を目指す

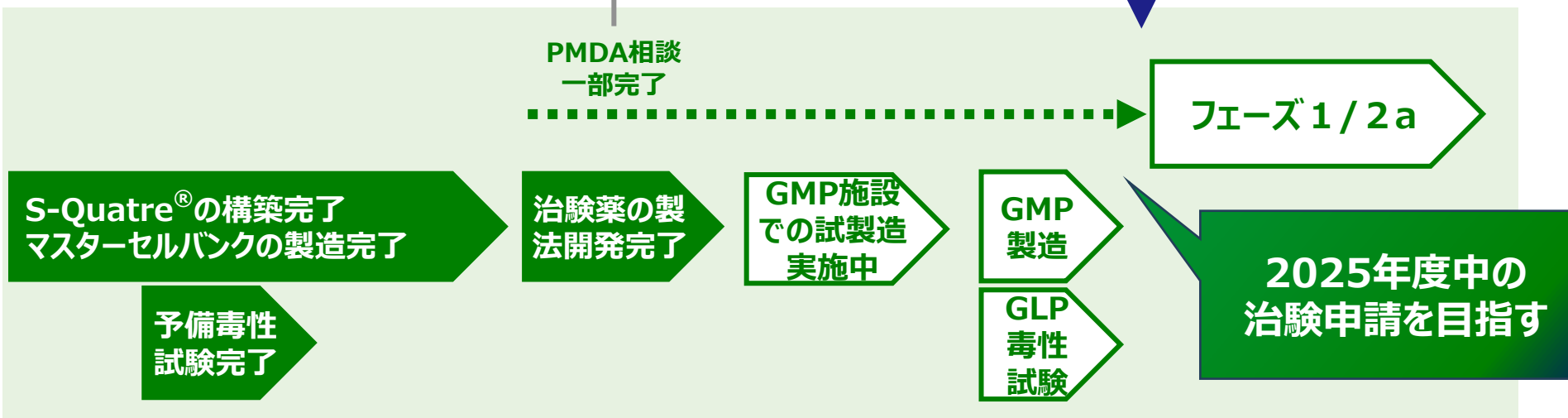
自家SHED

- 患者様自身の乳歯からSHEDを製造
- 患者様に投与し、主に安全性を確認



同種SHED

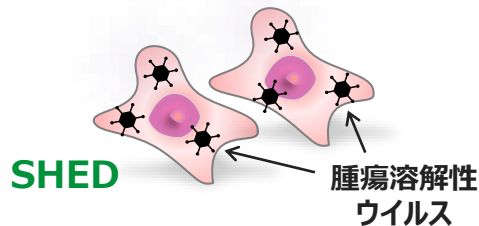
- 健常ドナー様の乳歯からSHEDを製造
- 多数の患者様に投与し、安全性と有効性を確認



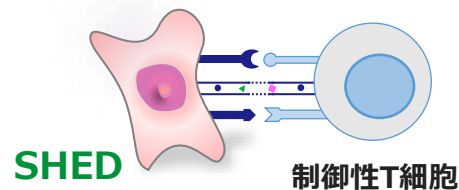
開発品	Indication	Stage			Partner
		Discovery	Pre-Clinical	Clinical	
SQ-SHED*	脳性麻痺（遠隔期） 開発コード：GCT-103				名古屋大学 東京医科歯科大学
	腸管神経節細胞僅少症 開発コード：GCT-102				持田製薬株式会社
	骨疾患				北海道大学
遺伝子改変 SQ-SHED	脊髄損傷 (Gene X)				名古屋大学
	脳腫瘍 (変異型チミンキナーゼ)				浜松医科大学

Other Potential Application

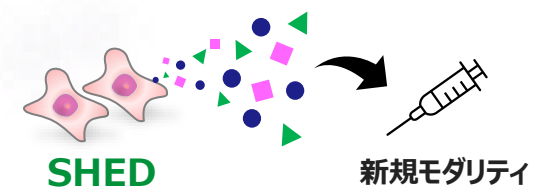
腫瘍溶解性ウイルスのデリバリーシステムとして
(適応：がん)



制御性T細胞医薬の製造強化ツールとして
(適応：自己免疫疾患, 臓器移植)



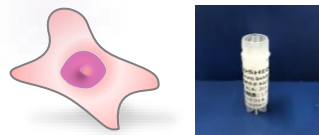
エクソソーム、ミトコンドリア等、新規モダリティ製品の原料として (適応：多岐)



柔軟なスタイルで外部との連携、外部資金の獲得を進め、 SHEDの研究開発加速化とS-Quatre®の価値最大化を目指す

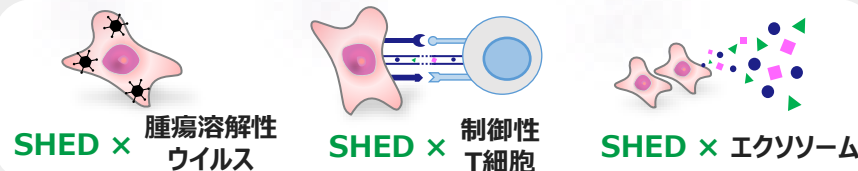
研究開発における主な取り組み

SQ-SHEDの
生産開発研究
(札幌研究所)



SQ-SHED

多様なモダリティへのSHEDの活用拡大
(東京ラボ)

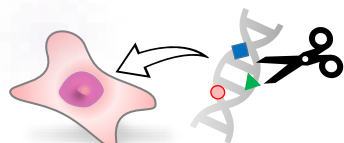


S-Quatre®

(SHED安定供給プラットフォーム)

次世代SQ-SHEDの
早期ステージアップ

(札幌研究所/東京ラボ)



SQ-SHED × 遺伝子改変

米国FDA基準に適合

SHED事業の海外展開を目指す



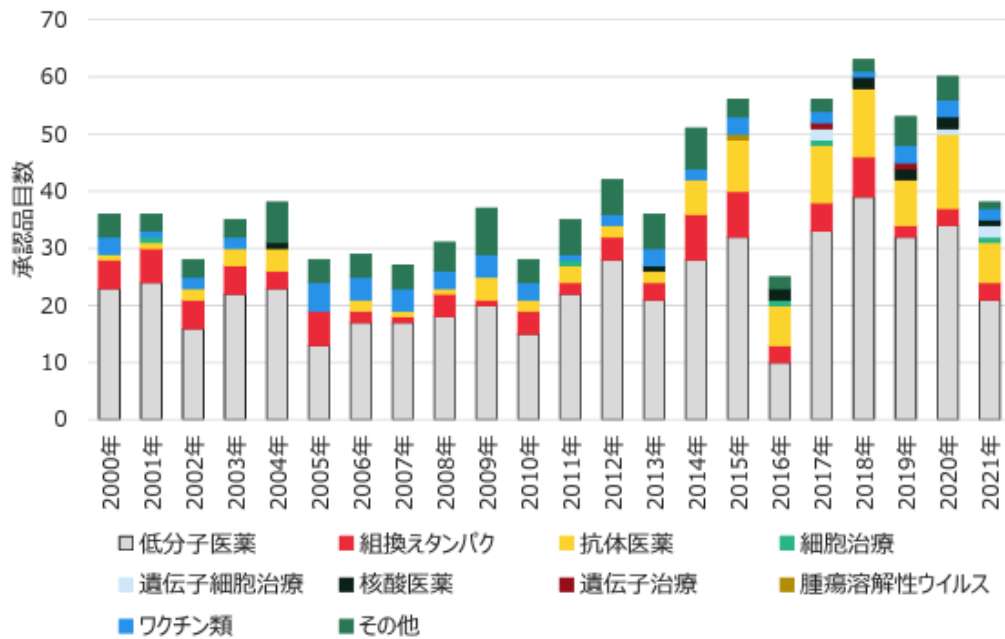
独自の資金調達の実施

- 外部企業やベンチャーキャピタルとの早期連携による資金調達（企業治験の開始）
- 大学との連携強化による公的資金獲得（医師主導治験への展開）

バイオリジクス産業とバイオベンチャーの状況

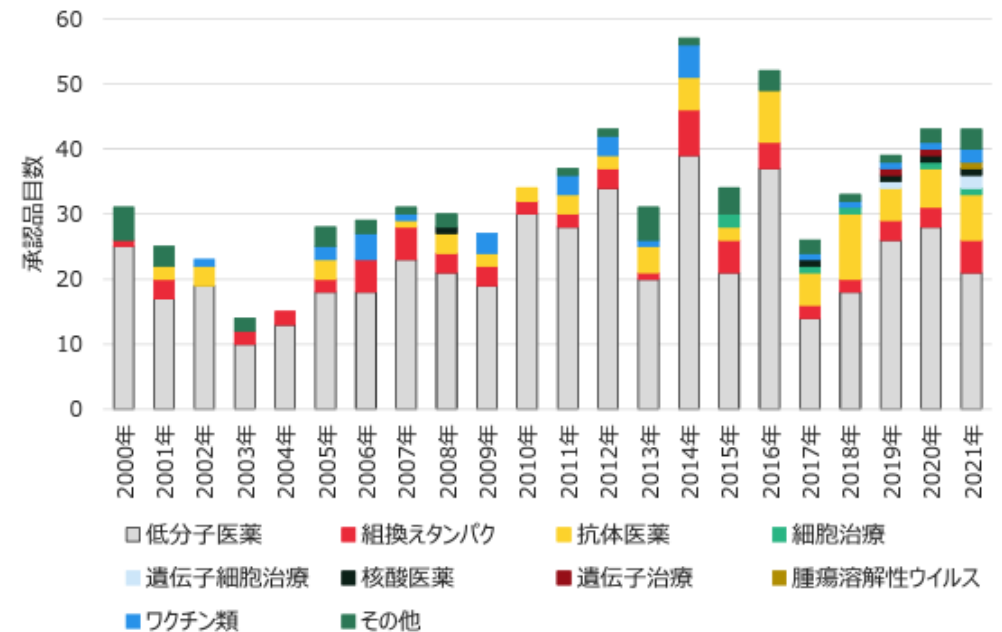
バイオリジクス産業の状況

- バイオ領域の技術革新により、新薬の創出可能性が拡大し、アンメットメディカルニーズに対する画期的新薬の創出が進んでいる
- 一方で、新規創薬モダリティ（バイオロジクス）は、低分子医薬品と比較し製造プロセス等が複雑で、より多額の開発費・製造費等を要するため、薬価の上昇につながっている



FDAにおけるモダリティ別承認品目数（海外）

FDA: Food and Drug Administration (米国食品医薬品局)



PMDAにおけるモダリティ別承認品目数（日本）

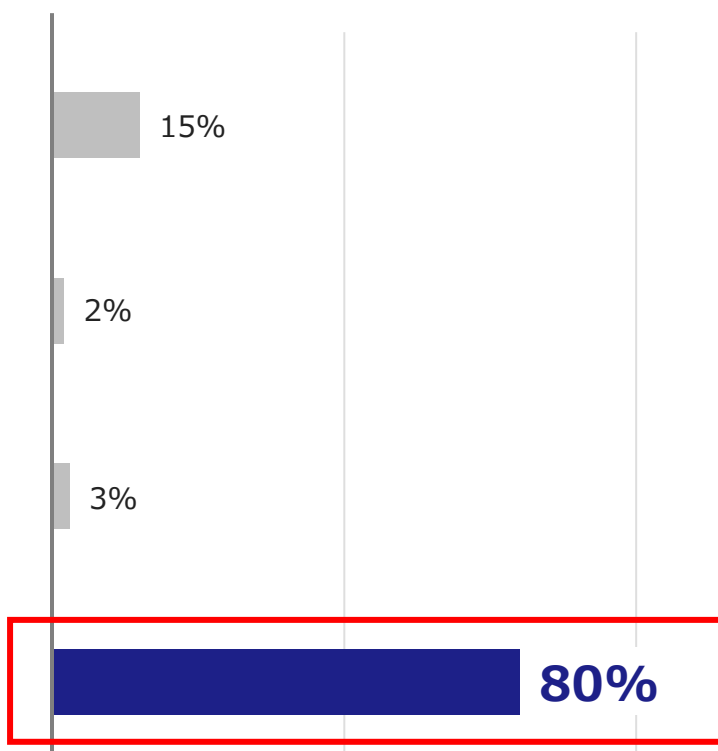
PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (独立行政法人医薬品医療機器総合機構)

創薬モダリティの多様化が進み、医薬品の研究開発の難易度が高まる中で、
新薬の創出はバイオベンチャーが担い、臨床開発は製薬企業が担うという流れが明確に

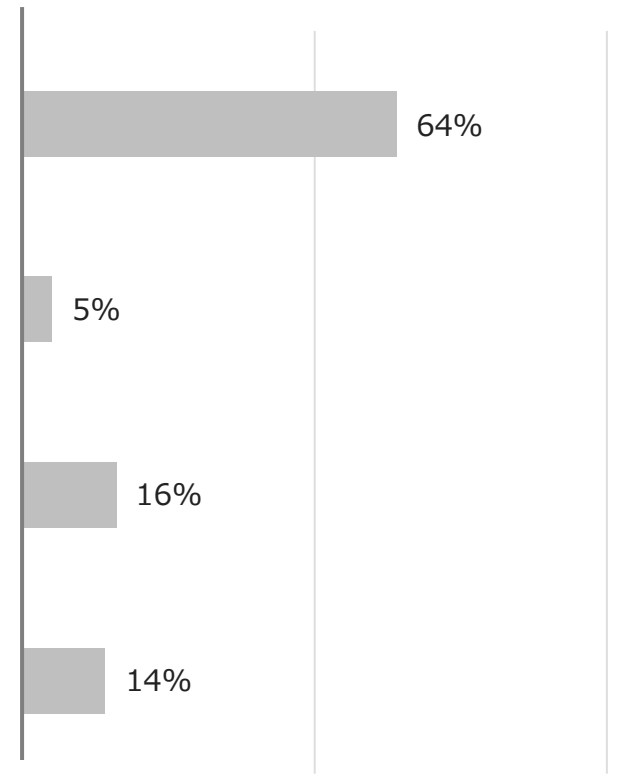
世界全体の製薬会社の分類と定義

大手製薬企業 (25社)	売上高：100億ドル以上
中堅製薬企業 (9社)	売上高：50億ドル～100億ドル
中小製薬企業 (74社)	売上高：5億ドル～50億ドル
バイオベンチャー (3,212社)	売上高：～5億ドル

世界の開発品目数に占めるシェア

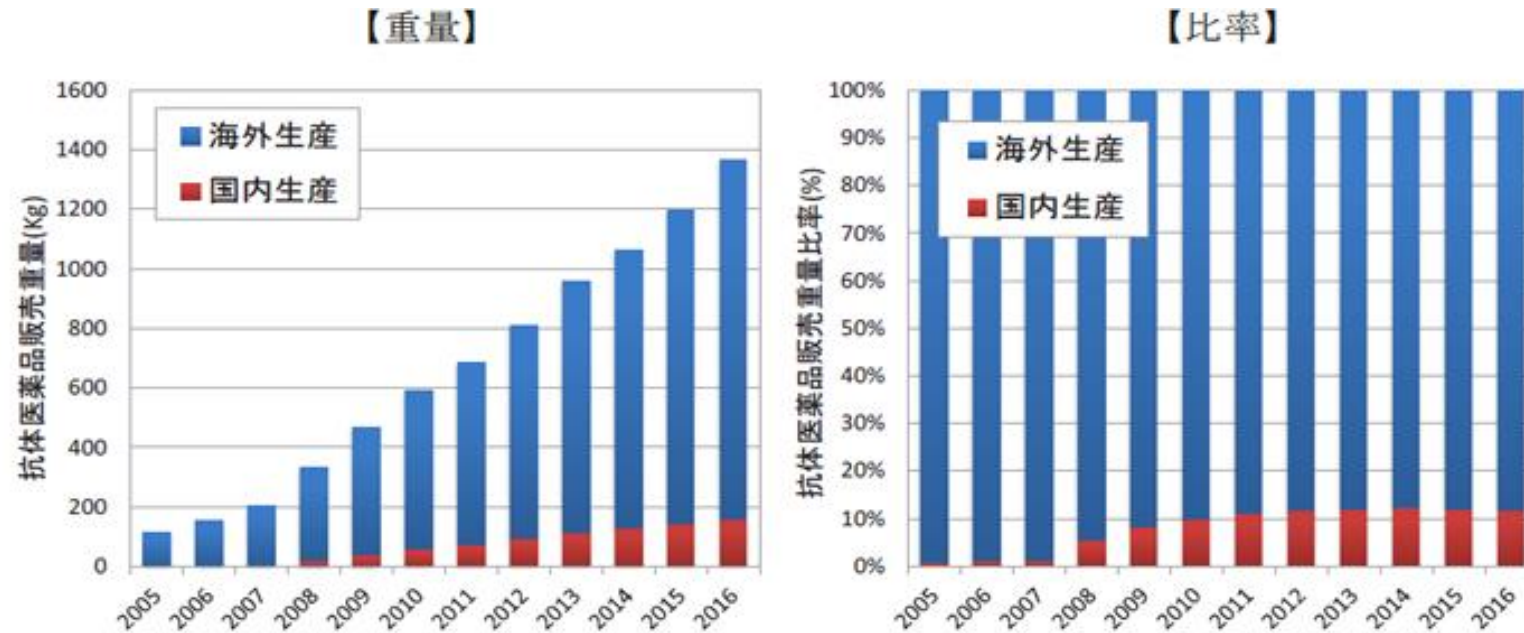


世界の医薬品売上高に占めるシェア



バイオリジクス産業において非常に重要な役割を担っている

- 日本国内の多くの製薬企業が、低分子医薬品の研究開発活動に経営資源を集中したため、国内においてバイオリジクスの研究開発ノウハウ・知識・技能・経験を有するバイオ人財が不足している
- そのため、バイオリジクスの製造プロセス開発・製造は、海外の製造受託機関（CDMO）に依存している
 - 為替変動や海外での物価変動が製造費用に大きな影響



国内外生産別の抗体医薬品販売重量の推移※

国内バイオベンチャーの状況

資金・人財不足と成功事例不足の負の連鎖に陥っている

資金不足

- 研究・開発を十分に進めるだけの資金調達が困難
- ベンチャーキャピタル（VC）の資金力不足
 - クロスオーバー投資家不在
 - バイオベンチャーに対する株式市場の期待不足

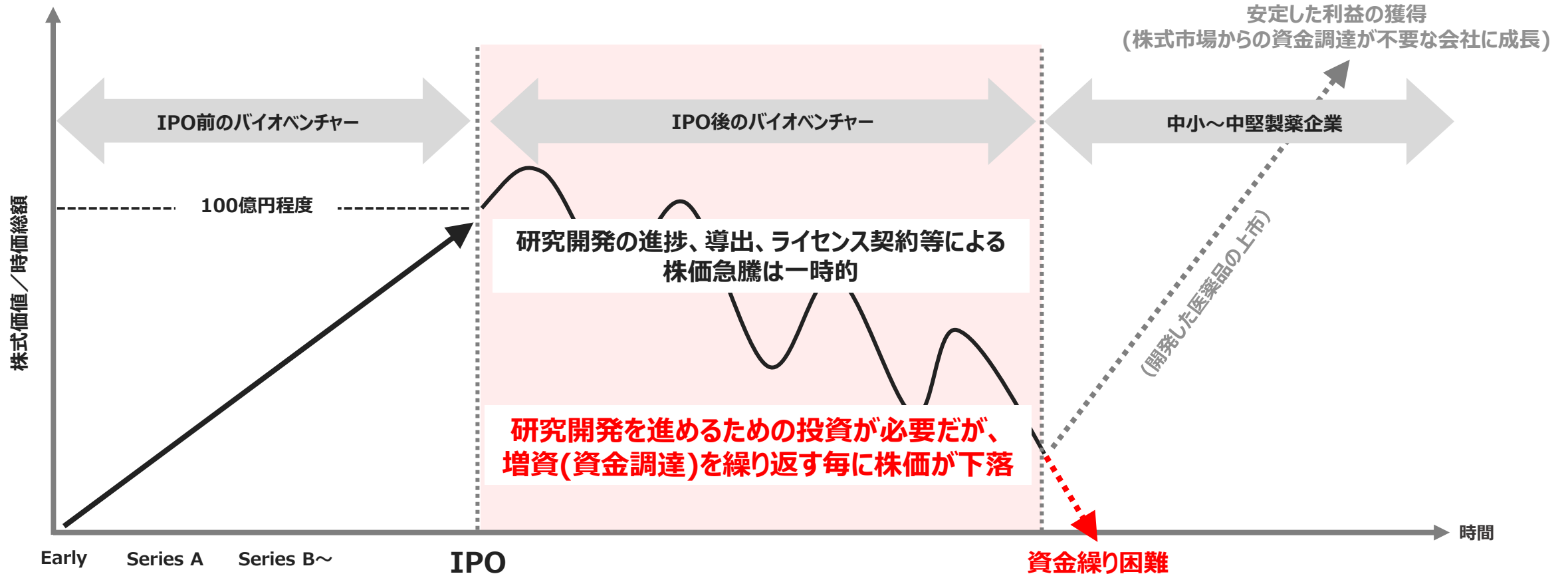
人財不足

- 研究・開発を適切に計画し実施するための人財確保が困難
- 国内バイオ人財不足・流動性不足
 - バイオベンチャー数増加に伴うバイオ人財分散
 - バイオベンチャーに対するバイオ人財の期待不足

成功事例不足

- 資金や人財を引き付けるバイオベンチャー発の大型新薬が生まれていない
- 製薬・バイオロジクス産業内からも、株式市場からも期待が集まらず

- 研究開発が進むほど、より大きな資金が必要となる医薬品業界の特性に反して、上場後は増資の度に時価総額が下落し、研究開発を進めるために十分な資金調達が困難となる



成長戦略 -競争力の源泉-

当社グループの強みは、バイオ医薬品開発及び 再生医療・細胞治療に関するノウハウ・知識・技能・経験・ネットワークを保有する“人財”

Kidswell.Bio

バイオ医薬品開発の豊富なノウハウ・知識・技能・
経験・ネットワークを有する人財が在籍

- 国内承認済みバイオシミラー18製品の内
4製品の開発に関与
- CDMOとの協業により、バイオシミラー原薬等の
製造プロセスを開発し、パートナー製薬企業が臨
床開発を実施したバイオシミラーは全て上市
- 上市後の原料等の安定供給体制の構築・維持

S-Quatre

細胞医薬の製造や幹細胞研究の知識・技能・
経験・ネットワークを有する人財が在籍

- 研究の歴史が浅いSHEDについて、自社研究
からスタートし、アカデミア・企業との連携も
合わせて、様々な研究成果を取得
- 自社独自技術として、SHED製剤を安定的に
製造する方法を開発
- これらの取り組みにより、研究ステージから、
ヒトを対象とする臨床開発ステージへ進展

当社グループの強みであるバイオ人財を
効率的且つ最大限に活用して事業を推進し、企業価値の最大化を図る

① バイオセイムの参入状況

- バイオセイムの国内市場参入は想定（2022年6月）したほど拡大していない
- 2019年「ダルベポエチンアルファ」のバイオセイム上市以降、新たなバイオセイムの参入はない

② 政府による取り組み

- 医療費抑制に向けたバイオシミラー普及率の目標を設定
- バイオシミラーの普及を促進させるため診療報酬を改定
- ジェネリック医薬品の安定供給問題を受け、過度な薬価引き下げに対する問題意識の共有

製薬企業による 開発方針

- バイオセイムの参入状況、政府による取り組みとその動向を踏まえ、バイオシミラーに対する製薬企業の意識が大幅に改善

外部環境の変化と動向を踏まえ、新規バイオシミラーへの取り組みを強化

両社の強みを活かした協業により、新たなバイオシミラーの共同開発を行い、
新たな事業モデルの確立と、更なる事業拡大を目指す

バイオ医薬品の開発におけるノウハウ・知識・技能・経験・ネットワークを保有する
“人財”

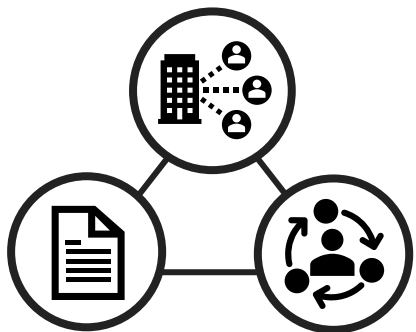


抗体医薬品の新薬開発に関する知識・
経験を有する“人財”

提携における協業内容	期待されるシナジー
<ul style="list-style-type: none">バイオシミラーの共同開発製薬企業やバイオベンチャーからのバイオシミラー等の開発支援業務等の受託開発費の分担と、獲得する収益のプロフィットシェア	<ul style="list-style-type: none">両社の強みである“人財”の組み合わせによる、バイオシミラー創出力の更なる強化と効率化両社の経営資源の有効活用研究開発ノウハウ・知識・技能・経験・ネットワークを最大限活かした開発の推進

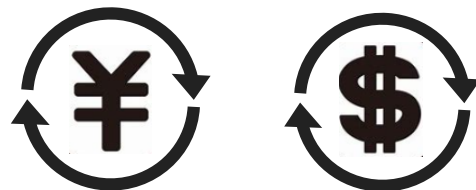
新たな経営体制の下、①経営資源の集中、②資金調達最適化、③事業価値の見える化を推進

① 経営資源の集中



- ✓ バイオシミラー事業、細胞治療事業にリソースを集中※
- ✓ 構造改革を通じた事業間の連携強化と研究開発・業務環境の整備
- 企業文化・制度の再構築、業務効率化により、経営資源を最大限活用

② 資金調達手段の最適化



- ✓ 金融機関からの借入実行
- それぞれの事業の性質・ステージに応じた資金調達の検討
- 開発パートナー企業等との提携による資金調達
- 資金の効率化と調達手段の最適化による株式市場依存からの脱却

③ 事業価値の見える化



- ✓ 海外投資家に対する開示体制の整備
- ステークホルダーに対する情報発信の“質の向上”
- 海外投資家との積極的な対話
- メディアへのアプローチ積極化による記事媒体の露出頻度増加

- 当社の事業活動を支えるのはバイオロジクスに関する高度な専門知識、技能や経験を有する多様なバイオ人財
- バイオ人財の採用及び育成の改善に努めるとともに、その能力を最大限発揮できる創造性とイノベーションにあふれる組織風土の基盤構築を目指し、各種人事制度及び組織体制整備に取り組む

専門性の高い人財の確保

- バイオロジクスに関する知識・技能・経験を有するバイオ人財の採用
- 海外での事業推進を見据えたグローバル人財の採用
- 競合他社と比べても遜色ない報酬制度の構築

多様性、創造性・革新性、自主性を評価し、失敗を恐れずチャレンジができる環境の確保

- 多様性（性別・年齢・国籍・価値観）を認め、尊重する企業文化の醸成
- 創造的・革新的な取り組みや、自主的な取り組みを評価する人事評価制度の策定
- 機動的かつ適正な人事配置・キャリア開発プログラム（人財育成計画）の策定、実行

従業員一人ひとりを尊重した働き方の確保

- 一人ひとりのキャリアプランを尊重した人財育成計画の策定、実行
- それぞれ異なるワーク・ライフ・バランスの実現に向けた柔軟な働き方の導入とインフラ整備

創造性とイノベーション
にあふれる組織風土



バイオシミラー事業の収益基盤化に目途が立ち、SHEDの臨床開発実施とその進捗に伴うパートナーリング活動による”事業価値向上の見える化”への取り組みを強化

KIDS WELL, ALL WELL

収益基盤の構築

- ✓ 1～4製品の安定供給体制の構築・維持及び価値最大化
- 新たなバイオシミラーの開発

再生医療等製品の開発加速

- ✓ 乳歯歯髄幹細胞 (SHED) のマスターセルバンクの確立
- 臨床開発の実施とパートナーリング活動の推進
- 新たなSHED創薬シーズ・技術の創出

再生医療等製品の価値最大化

- SHEDの再生医療等製品の上市
- 継続的な開発候補品の創出及びパートナーリングによる連続的な成長
- 海外進出、企業買収による非連続的な成長

日本から世界に羽ばたく
再生医療バイオベンチャーに

細胞治療事業 = 成長基盤

バイオシミラー事業 = 収益基盤 (黒字化及び細胞治療事業への成長投資)

2024年度 (現在) 2025年度 (売上高:30億円、営業利益:10億円) 黒字化

2030年度～

圧倒的な実績に裏付けされたバイオシミラー開発パートナー、そしてSHED創薬のグローバルトップランナーとして、パートナー企業等と共に企業価値向上の実現へ

Kidswell.Bio

バイオシミラー事業

- 上市済み4製品の収益最大化
- 第5製品目以降の積極的な開発の実施
- 当社強みを最大限に活かせる事業モデルへの変革と継続的な成長の実現

S-Quatre

細胞治療事業

- SHEDの開発パートナーへの導出実現
- 遺伝子改変SHED研究の前進
- 細胞原料安定供給プラットフォーム「S-Quatre®」の価値最大化（新規モダリティへの応用）

財務ハイライト

損益計算書（2024年3月期業績）

(単位：千円)

科目	2023年3月期	2024年3月期		修正後業績予想 (非連結)	進捗率	当初業績予想 (非連結)	進捗率
	4Q実績 (非連結)	4Q実績 (非連結)	対前年比				
売上高	2,776,241	2,431,236	88%	2,650,000	92%	3,500,000	69%
売上原価	1,250,553	1,391,852	111%	--	--	--	--
売上総利益	1,525,688	1,039,383	68%	--	--	--	--
販売費及び一般管理費	2,076,617	2,374,980	114%	--	--	--	--
研究開発費	1,216,349	1,453,349	119%	1,350,000	108%	1,600,000	91%
その他販管費	860,268	921,631	107%	--	--	--	--
営業利益（マイナスは営業損失）	△550,929	△1,335,597	--	△1,200,000	--	△1,500,000	--
経常利益（マイナスは経常損失）	△624,769	△1,389,601	--	△1,250,000	--	△1,550,000	--
当期純利益（マイナスは当期純損失）	△657,434	△1,422,078	--	△1,300,000	--	△1,550,000	--

- ・ バイオシミラー事業における、一部製品の納品時期の後ろ倒し及び一時的な支払い条件変更の影響に加え、細胞治療事業において、2023年3月期（前々期）に計上したマスターセルバンク構築完了に伴う売上高の影響がなくなったため、前々期に対して前期売上高は縮小した
- ・ 製造スケジュールが頻繁に変更され、支払い条件変更の影響が一部製品に対して十分に加味されていなかったため、前期実績は、修正後予測に対して未達となった
- ・ 急激に進んだ円安とバイオシミラー原薬を製造する海外における物価上昇の影響を受け、利益率は低下傾向
- ・ 需要増加（当社売上高の拡大）に対応するための製造委託先企業との調整に加え、製造原価低減施策（収益性の改善）を推進

貸借対照表（2024年3月期業績）

(単位：千円)

科目	2023年3月期 4Q (非連結)	2024年3月期 4Q (非連結)
流動資産	3,697,155	4,924,221
（現預金）	1,067,162	2,231,411
（売掛金）	1,088,766	881,407
（製品）	213,007	--
（仕掛品）	422,308	875,654
（前渡金）	821,536	739,567
（その他）	84,373	196,181
固定資産	197,609	161,329
資産合計	3,894,765	5,085,550
流動負債	1,055,839	2,375,227
固定負債	1,605,420	1,878,850
負債合計	2,661,259	4,254,077
純資産合計	1,233,505	831,473
負債・純資産合計	3,894,765	5,085,550

- 新株予約権の行使が順調に進んだことに加え、みずほ銀行及び日本政策金融公庫からの新規借入等により、現預金残高は大きく改善
- GBS-007に対する需要予測の増加に加え、2023年11月に上市したGBS-010の販売開始準備及び需要予測の増加に伴い、安定供給に向けた製造運転資金は高い水準を維持
- 原価低減施策に加えて、資金効率の改善に向けたパートナー製薬企業等との協議を推進

2025年3月期の業績見通し

(単位：千円)

科目	2024年3月期	2025年3月期	
	4Q実績（非連結）	通期予想（連結）	増減率
売上高	2,431,236	3,500,000 ~ 4,500,000	+43.9% ~ +85.0%
研究開発費	1,453,349	--	--
営業利益（マイナスは営業損失）	△1,335,597	--	--
経常利益（マイナスは経常損失）	△1,389,601	--	--
当期純利益（マイナスは当期純損失）	△1,422,078	--	--

以下の理由により、現時点では信頼性の高い今期（2025年3月期）業績予想数値の算出が困難であることから、売上高のみレンジ形式で業績予想を開示し、営業利益、経常利益及び当期純利益については、協議・調整が進み次第、業績予想を速やかに開示

1. 収益基盤事業であるバイオシミラー事業において、パートナー製薬企業及び製造委託先企業等と以下の協議を継続中

- ✓ バイオシミラー製品の薬価改定等に伴う、パートナー製薬企業への供給価格
- ✓ バイオシミラー原薬の製造価格の高騰に対応（円安、人件費・資材価格の高騰の影響とその対応等）
- ✓ バイオシミラー原薬・製剤の製造及び納品スケジュールと供給量
- ✓ 新規バイオシミラーの共同開発契約等

2. 成長基盤事業である細胞治療事業において、開発パートナー企業等との協議を継続中

それぞれの事業特性・ステージや資金用途に応じた資金調達を遂行 資金の効率化と調達手段の最適化による株式市場依存からの脱却を目指す

	バイオシミラー事業（当社）	細胞治療事業（新会社S-Quatre）
事業特性	ミドルリスク、ミドルリターン	ハイリスク、ハイリターン
資金調達手段（資金用途）	デットファイナンス（製造資金） 銀行借入を中心とした資金調達	エクイティファイナンス（研究開発資金） 株式発行による資金調達
事業の意義（事業ステージ） 戦略	収益基盤事業（収益回収ステージ） 既存製品最大化と新製品開発による収益性拡大	成長基盤事業（先行投資ステージ） 先端モダリティへの先行投資による先駆者利益獲得
資金調達の方針	提携先となる開発パートナー企業等からの資金提供 や、金融機関からの借入による資金調達を予定	事業会社やベンチャーキャピタルとの提携を含めた 独自の柔軟な資金調達を遂行予定（資金調達 手段の多様化）

第2回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第9回新株予約権（行使価額修正条項付）※1

資金使途	調達金額	充当金額	支出予定時期
バイオ新薬及び細胞治療事業（再生医療）における既に具体的な開発活動をスタートさせている案件に関する費用	585	585	2019年10月～2020年6月
バイオ新薬及び細胞治療事業（再生医療）における今後の新規案件拡充費用及び当該案件の推進に必要な研究開発費用	310	310	2019年10月～2022年3月

※1：第2回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第9回新株予約権 行使完了済

第3回無担保転換社債型新株予約権付社債※2 並びに第10回新株予約権（行使価額修正条項付）

資金使途	調達金額	充当金額	支出予定時期
JRM-001開発における国内第Ⅲ相臨床試験の実施に伴う費用	590	590	2020年4月～2022年3月
乳歯歯髄幹細胞を用いた再生医療等製品に関する製造、臨床開発、適応拡大及び新規技術導入に係る費用	679	239	2022年4月～2025年3月

※2：第3回無担保転換社債型新株予約権付社債 行使完了済

第4回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第15回新株予約権（行使価額修正条項付）

資金使途	調達金額	充当金額	支出予定時期
上市済みバイオシミラー製品（GBS-007）の長期安定供給等を目的とした製造販売体制に係る設備増強費用	492	492	2022年7月～2023年3月
上市済みバイオシミラー製品（GBS-007）の長期安定供給等を目的とした製造販売体制に係る設備増強費用	396	—	2023年4月～2027年3月

第18回新株予約権（行使価額修正条項付）※3

資金使途	調達金額	充当金額	支出予定時期
ラニビズマブバイオシミラー（GBS-007）の更なる増産を目的とした製造運転資金	3,232	1,034	2023年7月～2026年1月

※3：2024年6月末時点の充当状況

主要なリスク情報

事業遂行上の主要なリスクと対応策

項目	主要なリスク	影響	発生時期	リスク対応策
医薬品医療機器等法その他規制に関するリスク	臨床試験等において、医薬品としての品質、有効性及び安全性を示すことができない場合には、承認を得られず、上市できず、当社の事業計画に重大な影響を及ぼす可能性	中	中長期	各パートナー企業と各種規制に対する十分な調査を行い、これらを基準をクリアするための対策を講じながら研究開発を行う
医療制度改革の影響に関するリスク	医療費の抑制を目的とした薬価改定に関して、当社が製薬企業に販売する原薬の販売価格への影響	中	中長期	プロジェクト立ち上げ時または開発過程において、薬価改定を想定した採算性評価を行うことで対応
医薬品業界における競合に関するリスク	競合先との競争の結果により、当社がライセンスアウトした開発品あるいは研究開発中の開発品が市場において優位性を失い、研究開発の中止を余儀なくされる可能性	中	中長期	プロジェクト立ち上げ時または開発過程において、開発品の競争優位性、先行品または既存治療法との差別化を十分に検討、調査を行いながら開発を行うことで対応
バーチャル（外部委託）型経営に関するリスク	開発に係る委託先において一定の信頼性や品質を有する対応が困難となる、または該開発品の上市後、原薬などを安定供給することが必要となりますが、製造委託先が商業用規模での安定供給に支障をきたす可能性	中	中長期	開発委託先の選定時に相手先の実績、組織体制等の十分な調査、検討、評価を行い、開発品または上市品への影響を軽減することで対応
企業再編、企業買収、合併等に関するリスク	事業展開の手段として、関係会社の設立や売却、合併・分割・買収・提携の手法を用いた際、これらにかかる費用等が、一時的に当社の経営成績、財政状態に影響を及ぼす可能性	中	中長期	係るリスクに関する十分な調査・対応策の検討を行うことで対応
知的財産権に関するリスク	当社が保有する特許等を超える優れた技術の台頭により、当社の特許等に含まれる技術が淘汰される可能性、または第三者の特許等を侵害していた場合、当該第三者から差止請求や損害賠償請求を受ける可能性	中	中長期	プロジェクト立ち上げ時または開発過程において、知的財産権に関する十分な特許調査等を行うこと、開発品の競争優位性を確保することで対応
資金調達に関するリスク	研究開発の先行投資がリターンを生み出すまでの期間が長く、間接金融や増資等による資金調達を行った際、財務制限条項への抵触や株式価値の希薄化の可能性または、資金調達が困難となった場合に開発が中止する可能性	中	中長期	比較的開発リスクの少ないバイオシミラー事業で早期に安定収益基盤を確立し、資金調達に頼るリスクを軽減することで対応

KIDS WELL, ALL WELL

こどもの力になれること、こどもが力になれること

本資料はキッズウェル・バイオ株式会社（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。

本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。

この資料のアップデートは、毎年6月を予定しております。また、当社の経営方針に重要な変更があった場合には、別途開示することを想定しております。