

# 事業計画及び成長可能性に関する事項

---

2023年6月30日

**バイオで価値を創造する**

－こども・家族・社会をつつむケアを目指して－

**キッズウェル・バイオ株式会社**

- 会社概要
- 競争優位性を生み出す事業体制、収益構造
- 成長戦略 中期経営計画-KWB2.0-
- 細胞治療事業（再生医療）
- バイオシミラー事業
- バイオ新薬事業（抗体医薬）
- 市場環境の概要
- 主要なリスク情報

# 会社概要

会社概要	設立	2001年3月		
	上場	2012年11月（東証グロース）		
	資本金	1,509百万円（2023年3月31日現在）		
	所在地	本社	東京都中央区新川一丁目2番12号	
		研究所	札幌研究所（北海道大学内） 東京研究所（三井リンクラボ新木場2）	
従業員数	41名（2023年3月31日現在）			
経営体制	取締役	代表取締役社長	紅林 伸也	
		取締役	川上 雅之	
		社外取締役	栄木 憲和 元 バイエル薬品（株）代表取締役会長	
	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	紅林 伸也	
		最高執行責任者 開発本部長	川上 雅之	
		研究本部長	三谷 泰之	
		製薬本部長	坂部 宗親	
		管理統括本部長	栄 靖雄	
主要株主	ノーリツ鋼機株式会社、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			
事業内容	細胞治療事業（再生医療）、バイオシミラー事業、バイオ新薬事業			

## 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**

～こども・家族・社会をつつむケアを目指して～

### 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



**外部環境の変化等に流されず、当社の強みを活かしながらビジョンの早期実現を目指す**

**競争優位性を生み出す  
事業体制、収益構造**

## 3つの事業体制の下、 安定性と成長性を兼ね備えた事業モデルを構築

### 成長性の追求

細胞治療事業（再生医療）



乳歯歯髄幹細胞(SHED)を活用した  
再生医療等製品の開発推進



バイオ新薬事業（抗体）



新たなメカニズムの抗体医薬の創製

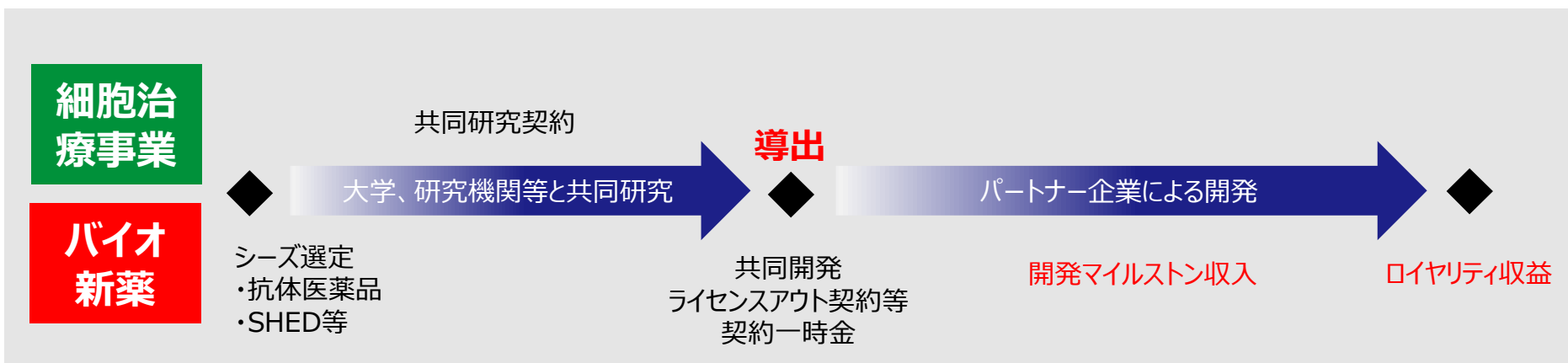
### 安定性の確保

バイオシミラー事業



主要3事業、いずれも製薬企業への早期導出を目指し、効率的な開発費投資から収益獲得へ

■ 一般的な医薬品開発の流れ



注：当社は、開発パイプラインに応じて適切な開発体制を構築しますので、上記図は一例です。





## 乳歯歯髄幹細胞 (SHED)

**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

大分大学  
末梢神経麻痺

名古屋大学/東京医科歯科大学  
(三者共同研究)  
脳性まひ

岐阜薬科大学  
眼関連

名古屋大学  
脊髄損傷

北海道大学/総合せき損センター  
(三者共同研究)  
難治性骨折

### 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

メトセラ

カイオム

細胞治療

### 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

抗体医薬品

### 新規抗体

GND-004  
眼疾患

札幌医科大学  
がん

肺高血圧症

MabGenesis  
がん

血管炎

悪性リンパ腫

## ドナー候補確保からSHEDの安定的な製造・供給体制を構築済

### ドナー候補の全身状態確認 歯科での抜歯

東大病院  
昭和大歯科病院

- 同意説明・同意取得
- ドナー情報の収集・提供
- ドナースクリーニング (診査・検査)
- 抜去された歯の収集・提供 など



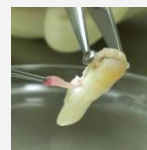
乳歯



### GMP基準下での マスターセルバンク製造

ニコン・セル・イノベーション  
(細胞受託開発・製造業者)

- 抜去歯の受け入れ
- 歯髄組織からSHEDを単離・培養
- マスターセルバンクの製造



マスターセルバンク  
(GMP準拠)

エスカトル  
**S-Quatre**<sup>®</sup>  
Kidswell.Bio

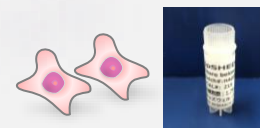


乳歯ドナー候補の安定確保

臨床応用・創薬への展開

## 世界初のSHEDによる細胞治療・遺伝子治療製品等の創出を目指す

SHEDの  
創薬プラットフォーム



SHEDマスターセルバンク  
(GMP準拠)

### 第一世代SHED

早期の実用化

対象疾患領域

神経系および筋骨格系の疾患

市場ポテンシャル

7,000~8,000億円規模<sup>※1</sup>

(世界：2040年の予測)

### 第二世代SHED

デザイナー細胞への応用

対象疾患領域

遺伝子疾患、神経変性疾患、がん

市場ポテンシャル

1兆円を超える市場規模<sup>※2</sup>

(例) CAR-T療法：135億ドル以上  
(世界：2028年の予測)

### 他のモダリティとのシナジー追求

他のモダリティへの活用

SHED由来の細胞小器官・細胞外小胞体（エクソソーム、ミトコンドリア等）を活用した製品、ドラッグデリバリーシステム(DDS)への応用

市場ポテンシャル

数千億円規模を予想<sup>※3</sup>

## 他の創薬型ベンチャー企業には無い当社の強み

- 運転資金（固定費）を上回る収益をバイオシミラー事業で生み出している
- 2025年度にはバイオシミラー製品で売上30億円、営業利益10億円達成可能な**収益基盤を構築**
- バイオ医薬品の開発**知識・経験豊富な人財を保有**、開発に対する**ノウハウを蓄積**

### 経営基盤 “バイオシミラー”

GBS-001  
(フィルグラスチムBS)

GBS-011  
(ダルベポエチンアルファBS)

GBS-007  
(ラニズマブBS)

4製品目

5製品目以降

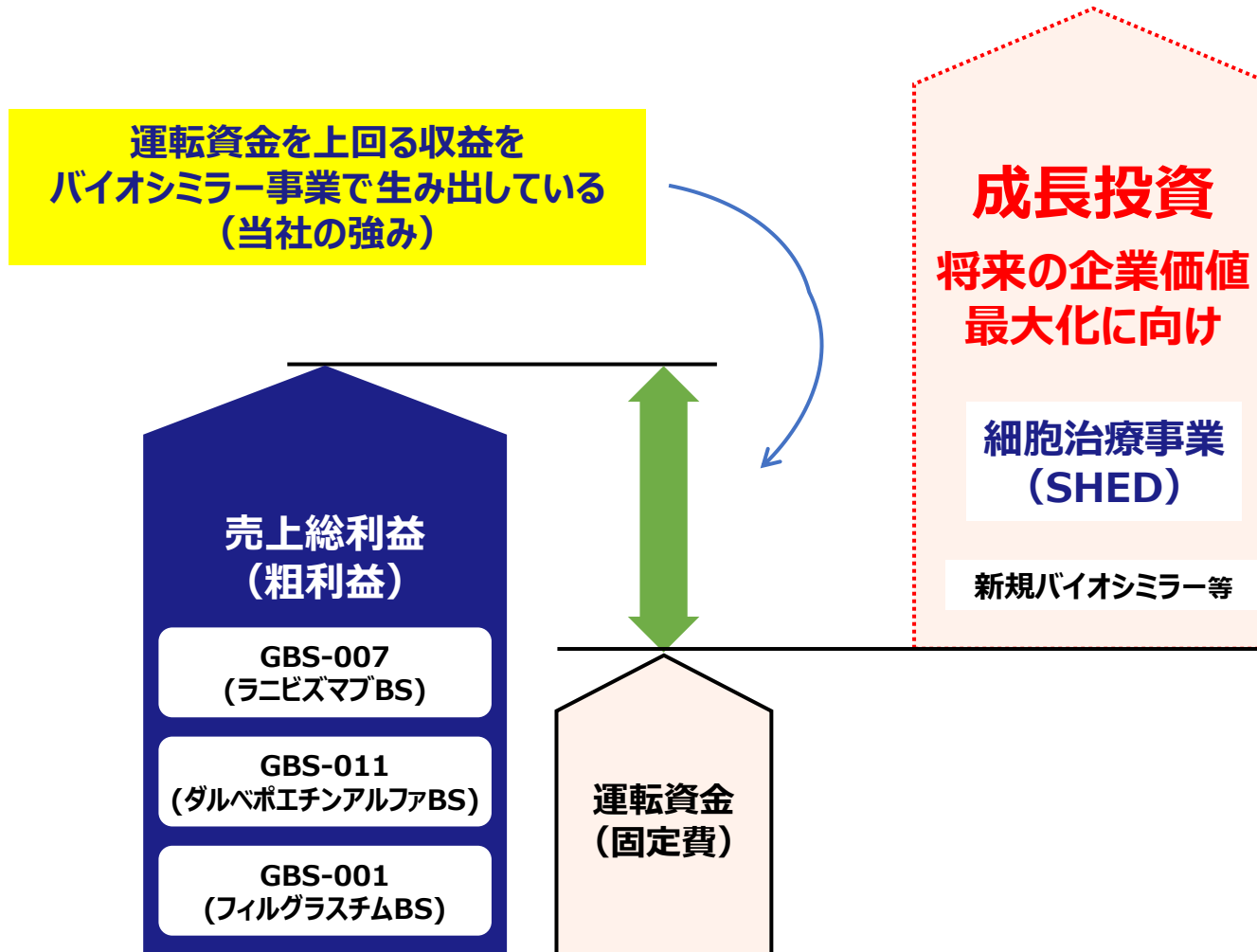
**中長期的な“キャッシュフロー”+開発を推進する“人財”+蓄積した“ノウハウ”**

バイオシミラー事業の収益性を最大化し、更なる経営基盤の強化を実現

### 今後のバイオシミラー事業の方針

- 上市済バイオシミラー3製品 + 4製品目の開発プロジェクトは、**価値最大化に向けた取り組みを継続**する
- 新規バイオシミラーの開発は、**先発品バイオ医薬品の状況を鑑みながら、引き続き検討**を継続する

バイオシミラー事業で確実な収益を確保しつつ、成長投資を推進し、将来の株価・企業価値の最大化に繋げる



# 2023年3月期 業績結果 (PL)

## 損益計算書

(単位：千円)

科目	2022年3月期 連結 4Q実績	2023年3月期 非連結		ポイント		
		4Q実績	対前年比		通期予想	進捗率
売上高	1,569,233	2,776,241	177%	<ul style="list-style-type: none"> <li>販売好調なGBS-007を含めたバイオシミラー事業の売上が伸長</li> <li>マスターセルバンク完成に伴う売上高を計上</li> <li>一部に出荷のタイミングのズレが生じたものの、通期予想に対しては概ね計画通り</li> </ul>	2,900,000	96%
売上原価 (対売上高比率)	550,357 35%	1,250,553 45%	227%		1,700,000 59%	74%
売上総利益	1,018,875	1,525,688	150%		<ul style="list-style-type: none"> <li>バイオシミラー事業の売上拡大により売上総利益は拡大</li> </ul>	1,200,000
販売費及び一般管理費 (対売上高比率)	1,937,994 123%	2,076,617 75%	107%	研究開発費 <ul style="list-style-type: none"> <li>GBS-007の開発費、株式譲渡に伴うJRM-001の開発費の減少</li> <li>一方で、細胞治療事業への研究開発投資を拡大</li> </ul>	2,180,000 75%	95%
研究開発費 (対売上高比率)	1,150,210 73%	1,216,349 44%	106%		1,400,000 48%	87%
その他販管費	787,784	860,268	109%	その他販管費 <ul style="list-style-type: none"> <li>好調なバイオシミラー事業による支払ロイヤリティの増加</li> <li>その他一般経費はコスト削減努力を継続的に実施</li> </ul>	780,000	110%
営業利益	△919,119	△550,929	--	<ul style="list-style-type: none"> <li>営業利益（損失）は、GBS-007を始めとするバイオシミラー事業が好調に推移した事に加え、投資の優先順位付けと継続的なコスト削減により改善</li> <li>対通期予想でも赤字額は大幅に縮小</li> </ul>	△980,000	--
経常利益	△952,640	△624,769	--		△999,000	--
当期純利益	△535,259	△657,434	--		<ul style="list-style-type: none"> <li>当期純利益（損失）は、前期に投資有価証券売却益を特別利益として計上した反動で前期と比べて増加したものの、通期予想に対しては大幅に改善</li> </ul>	△1,000,000

- 引き続きバイオシミラー事業は順調に推移。臨床入りに向けたSHEDの製剤開発等、細胞治療事業においても確実に前進
- 売上高は増収、各利益段階でも、前期特殊要因のあった、当期純利益を除き損失幅が改善
- 中期経営計画-KWB2.0- の計数目標達成に向けて確実に一步前進

- 売上高はGBS-007の伸長、第4製品目のバイオシミラーからの収入も見込み、中期経営計画で掲げた2025年度の業績目標（売上高30億円、営業利益10億円）に向けて順調に進捗
- 研究開発費は、SHEDのヒトへの投与開始及び上市を見越したSHEDの製法確立など、2030年度の実用化を目指して細胞治療事業への重点的な投資を継続
- 各利益段階は、研究開発費の増加に加え、製品構成差による原価率悪化により、一時的に赤字額が拡大
- 2025年度には、細胞治療事業への投資を継続しつつ、バイオシミラー事業の更なる売上拡大による利益貢献により、中期経営計画達成を見込む

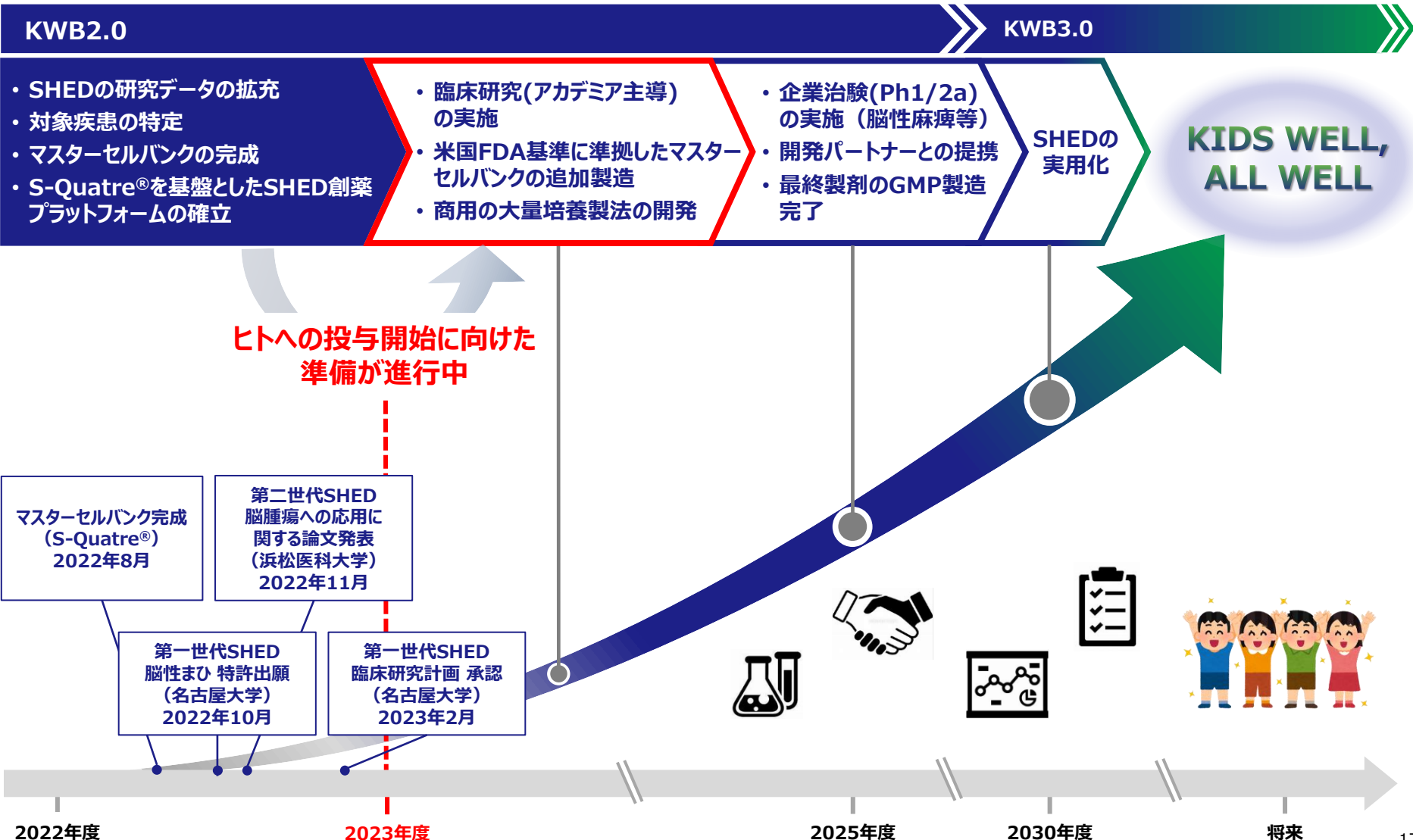
(単位：千円)

科目	2023年3月期 実績	2024年3月期 予想	増減率
売上高	2,776,241	3,500,000	+26.1%
研究開発費	1,216,349	1,600,000	+31.7%
営業利益	△550,929	△1,500,000	--
経常利益	△624,769	△1,550,000	--
当期純利益	△657,434	△1,550,000	--

**成長戦略**  
**中期経営計画 -KWB2.0-**



## 患者様にSHEDを活用した治療薬を届けるための取り組みが確実に前進



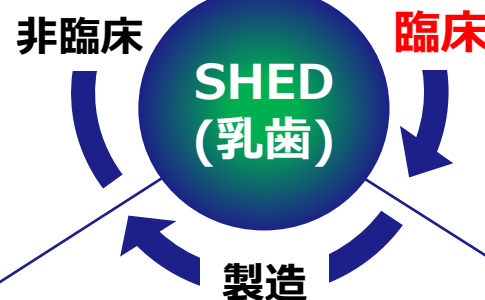
## アカデミアとの共同研究により対象疾患を選定

- 得られたエビデンスを基に、更なる共同研究を進め、SHEDの可能性を最大化する
- SHEDのメカニズム解明に向けた研究を推進する



## 日本・海外での臨床開発を加速

- 日本だけでなく、海外での早期実用化も目指す
- 国内で製造したSHEDの海外への搬入体制構築を目指す
- 海外拠点の設立を目指し活動中
  - 海外医療機関・アカデミア等とのネットワーク醸成
  - 日本－海外間のスムーズな連携強化



**SHED創薬プラットフォーム**

Escatrol  
**S-Quatre**®

SHEDマスターセルバンク  
(GMP準拠)

**乳歯のドナー登録・SHEDの培養・細胞医療製品等の原料となる  
MCB (マスターセルバンク) の製造までの一連の体制を構築**

- 持続的な企業価値向上に繋がる人財の確保・育成と組織体制の整備を通して社会に貢献
- 新しい医療の提供を通して ESGのうち S（Social = 社会）に対する貢献を追求

## 専門性の高い人財の確保

- 細胞治療などの再生医療分野における知識・経験を有する人財の採用
- 次世代モダリティの知見を有する人財の採用
- 海外での事業推進を見据えたグローバル人財の採用

## チャレンジできる環境の確保

- 人財戦略を実現するタレントマネジメントの実施
- 多様性（性別・年齢・国籍・価値観）が高まる社内文化の醸成
- 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

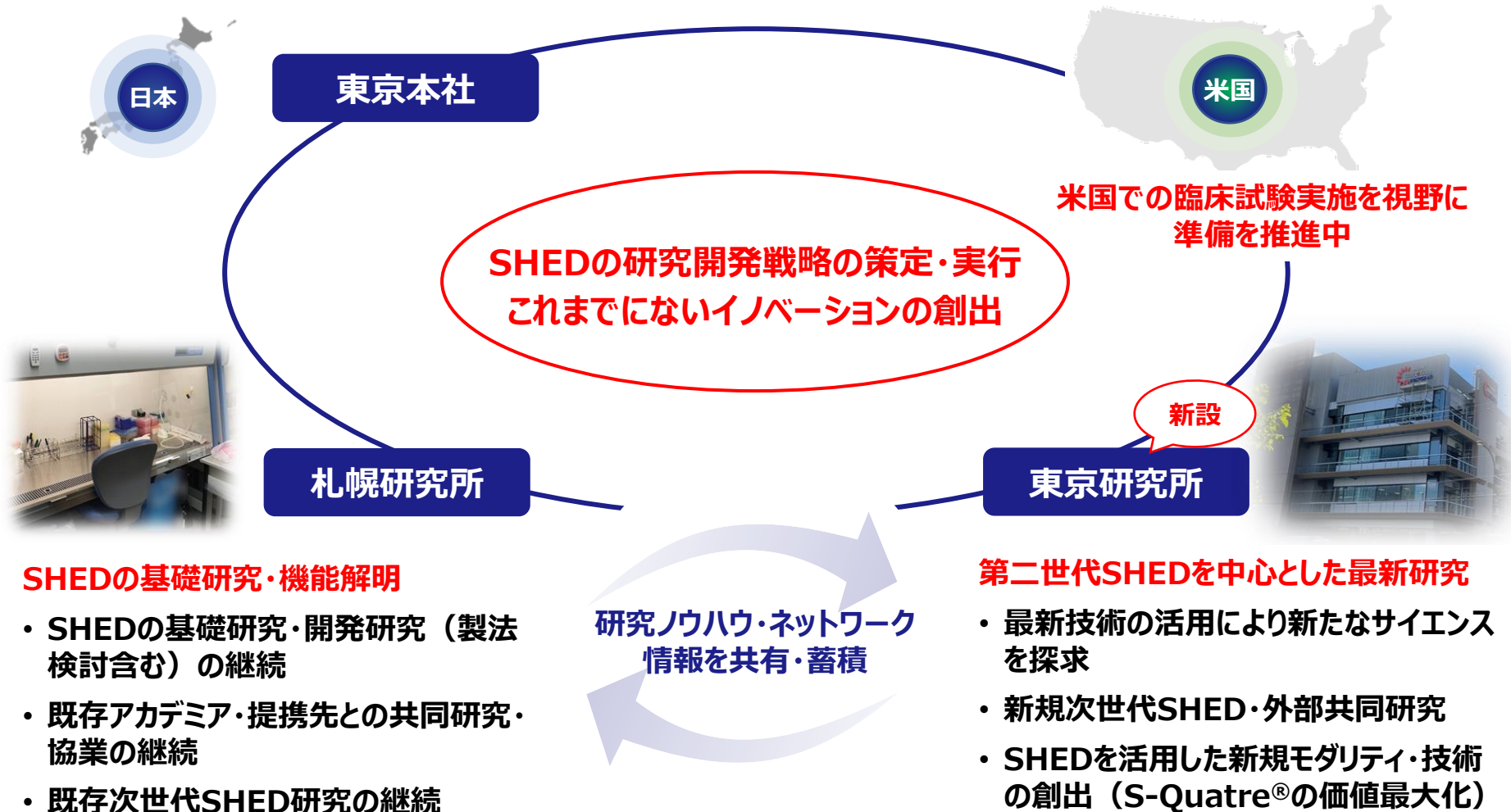
- 緊急事態、パンデミック発生時でも対応できる勤務体制
- 柔軟な働き方が可能なインフラの充実
- 一人ひとり異なる働き方への理解に対する社内文化の醸成

創造性とイノベーション  
にあふれる組織風土



- 中期経営計画-KWB2.0-の戦略実行を可能とする人財採用の強化
- SHEDの早期実用化に向けた研究開発体制の構築を推進

機動的に研究を行える札幌及び東京研究所の下支えによって、  
日本・米国におけるSHEDの早期実用化に向けた研究開発の更なる加速を目指す



望まれている治療薬を患者様に届けるという使命の下、  
企業価値向上に向けた取り組みを確実に進める

- “臨床入り”を目的とした準備・体制構築が着実に進行中
- バイオシミラー事業による収益確保を維持し、製造コスト削減を進める

KIDS WELL, ALL WELL

マスターセルバンク完成

## 収益基盤の構築

### バイオシミラー開発技術の樹立

- バイオ医薬品の開発ノウハウ習得
- GBS-007 (3製品目) 販売好調
- 4 製品目 開発中
- 新たなパイプライン開発の検討継続中

## 再生医療等製品の開発加速

### SHEDの開発にフォーカス

- これまでの国内での開発に加え、海外での開発展開を加速
- 研究開発を遂行する人材 (人的資本) への積極的な投資
- 海外ファンド、AMED等の研究資金や助成金からの資金調達によって研究開発の加速を実現

## 再生医療等製品の創出

2030年度までに世界初のSHEDを活用した再生医療等製品の上市を目指す

- 日本、海外での着実な開発進展
- SHEDのビジネス活動の強化
- 再生医療等製品の開発スペシャリストや、新たなモダリティの知見を持つ人材等、多様性に富んだ人員構成を実現

## SHED+人材の成長

## バイオシミラー事業による確実な収益の確保

創業 ~ 2021年度 2022年度~ 2025年度 (売上:30億円、営業利益:10億円) 2030年度~

## 未だ有効な治療法が確立されていない病気に対して SHED（乳歯歯髄幹細胞）を用いた再生医療等製品を届ける

### 腸管神経節細胞僅少症



(DOI: 10.7759/cureus.33680)

### 脳性麻痺

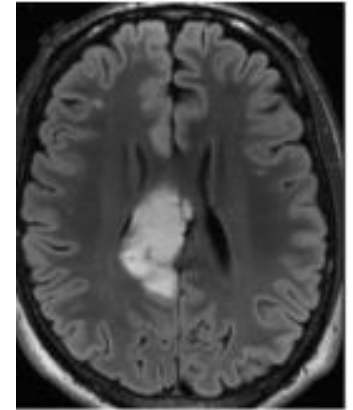


(DOI:10.1302/0301-620X.85B2.14066)



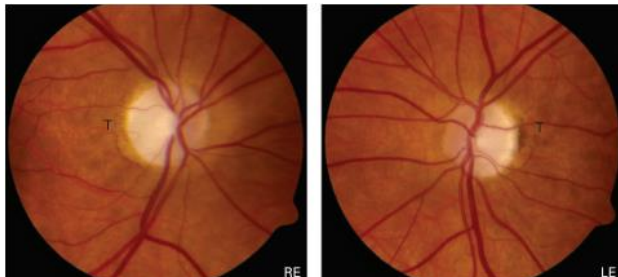
(FOUNDATION PARALYSIE CEREBRALE  
"White Paper on cerebral palsy")

### 脳腫瘍



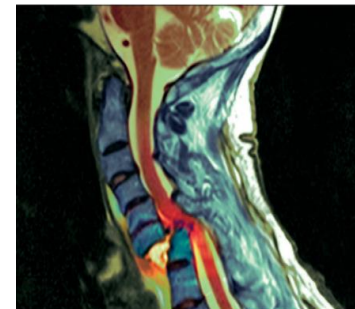
(DOI: 10.3390/cancers11010111)

### 視神経疾患



(doi:10.1136/jmg.2007.054270)

### 脊髄損傷



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

# 細胞治療事業の主なパイプライン

開発品	対象疾患	ステージ※1				提携先	患者数※2	
		探索	研究	前臨床	臨床		国内	米国
第一世代 SHED	脳性麻痺					名古屋大学 東京医科歯科大学	2,000人/年 (累計3万人)	12.5万人 (10歳以下)
	腸管神経節 細胞僅少症					持田製薬(株)	100人	—
	脊髄損傷					名古屋大学	5,000人/年 (累計10万人)	1.3万件/年
	視神経疾患					岐阜薬科大学	※3	※3
	難治性骨折					北海道大学	10万人/年	—
	口唇口蓋裂					ORTHOREBIRTH(株)	2,000人/年	新生児1万人中 15人
第二世代 SHED	脳腫瘍					浜松医科大学	2万人/年	2.7万人/年
	脊髄損傷					名古屋大学	5,000人/年 (累計10万人)	1.3万件/年
	神経変性疾患等							
他の モダリティ との シナジー 追求	自己免疫疾患等							
	ミトコンドリア/ エクソソーム等							

※1: 当社開発ステージの定義；前臨床：治験に向けた製剤開発・予備毒性試験開始、研究：動物POC取得済み、探索：動物POC取得前

※2: Global Data, Global Cancer Observatory等を基に当社作成、※3: 詳細非開示

## パイプライン価値を向上させるための資金調達を様々な方法にて 適時適切な規模で実行、今後もこの資金調達方針を継続

2019年度～セルテクノロジー買収＝再生医療事業本格化以降の資金調達

資金調達手段	充当目的
自己資金 約10億円／年	固定費、研究開発費（抗体新薬、SHEDの基礎研究）
銀行借入 16億円	バイオシミラー事業の運転資金、開発資金の一部
CB発行、ワラント行使 22億円	<ul style="list-style-type: none"> <li>GBS-007及びバイオシミラー第4製品目上市に向けた製造プロセス開発</li> <li>SHEDのマスターセルバンク確立、細胞培養プロセス開発等</li> </ul>

2023年度～

資金調達手段（予定）	充当目的
自己資金 約10億円／年	固定費、SHEDの基礎研究
既発行ワラント未行使分 約6億円	バイオシミラー生産拡大対応
銀行借入	GBS-007の需要拡大、バイオシミラー第4製品目上市後の運転資金
株式発行、助成金(AMED等)	SHEDの臨床研究推進、治験開始準備、製造体制の強化

2025年度～ **資金調達方針（予定）**

- SHEDの臨床開発は開発パイプラインの開発進捗に応じて、株式調達、外部パートナー（事業会社・投資ファンド）との連携に加え、AMED等からの助成金も視野に入れて対応
- 事業利益の状況をみながら銀行借入等デット調達も活用



## 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

（単位：百万円）

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）

（単位：百万円）

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

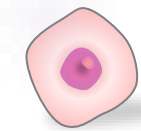
## 第4回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第15回新株予約権（行使価額修正条項付）

（単位：百万円）

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

# 細胞治療事業（再生医療）

# SHED (乳齒齒髓幹細胞)

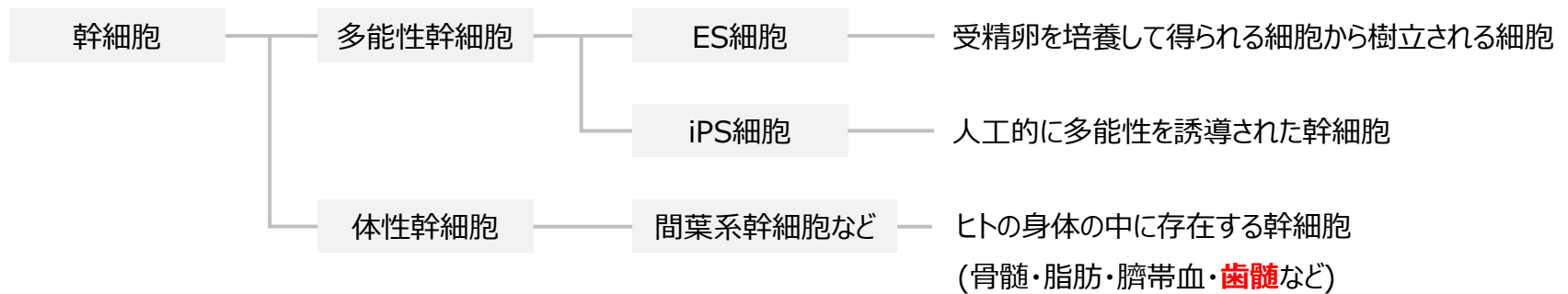


幹細胞

- 筋肉、骨、血液、臓器、皮膚、神経などは、全て細胞で出来ている
- 幹細胞は全ての細胞のもとになっている
- 病気によって本来の機能を果たせなくなった**細胞や組織を修復・再生できる能力**を持つ



## 幹細胞の種類

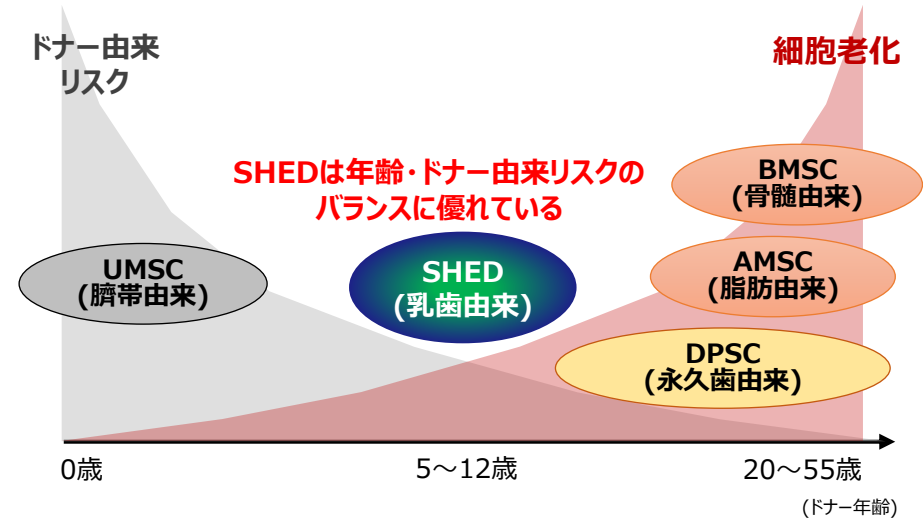


当社は **“乳歯 (こども)” 由来の歯髄幹細胞**の特徴に着目

## 乳歯歯髄幹細胞

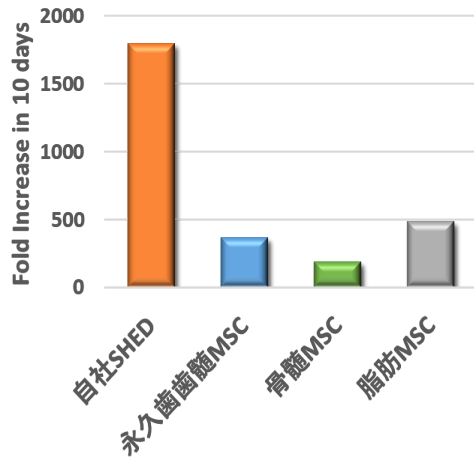
**SHED** : **S**tem cells from **H**uman **E**xfoliated **D**eciduous teeth

- 歯の内部(歯髄腔)に存在する**歯髄**から採取される**幹細胞**
- 特に乳歯から採取された幹細胞(SHED)は活動が活発であり、**高い修復・再生能力**を持つ
- 脱落歯から採取可能で、**採取タイミングが多く、ドナーへの負担が少ない**
- **世界的にも研究の歴史が浅い、新しい幹細胞**

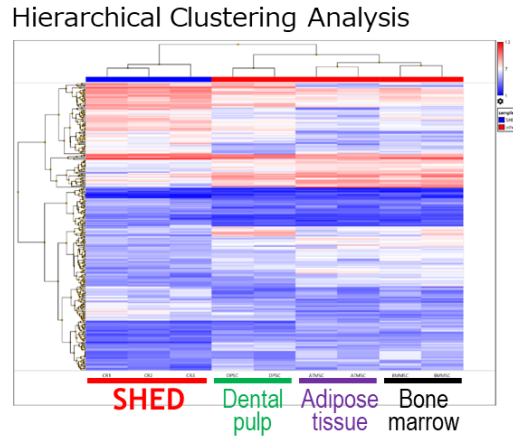


	歯髄 (乳歯)	骨髄	脂肪	臍帯 (臍帯血)
バンクの種類	民間	公的	民間	公的、民間
ドナー年齢	5-12歳程度	20歳以上 55歳以下	大部分は20歳以上 (推測)	0歳
採取チャンス	乳歯の生え変わり時 (通常20回)	骨髄移植時	脂肪吸引等 の手術時	出産時 (1回)
ドナーへの負担	低い	高い	高い	非常に低い
細胞増殖力	非常に高い	高い	高い	研究段階

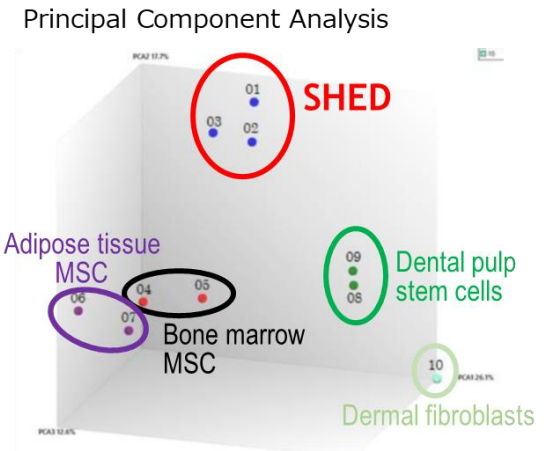
発生学的に神経堤由来(neural crest cell)である歯髄幹細胞は、特に**神経系および筋骨格系の疾患**への応用が期待できる



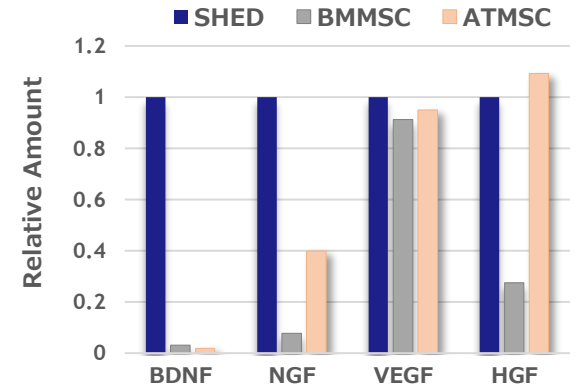
SHEDは若く、増殖能が高い※



SHEDは神経新生、血管新生、細胞遊走関連の遺伝子発現が高い※



SHEDの特徴	再生医療への応用
増殖能力が高い※1,2	短期間で必要十分な細胞を確保
神経新生関連遺伝子の発現※1,3および神経系成長因子の分泌量※1,4が高く、神経再生能力が高い※1,5	神経再生に関わる疾患 (例：脊髄損傷、脳梗塞、脳性まひなど)
骨再生能力が高い※1,6	骨再生が必要な疾患 (例：難治性骨折、大腿骨頭壊死症など)

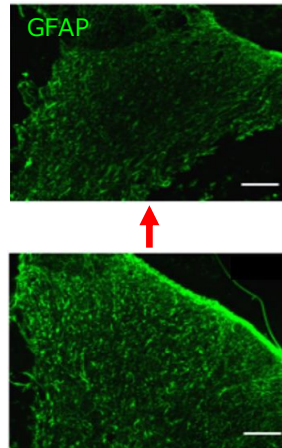
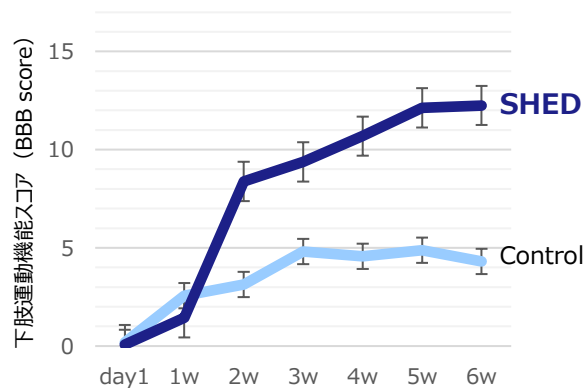


SHEDは神経栄養因子(BDNF, NGF)の分泌能が高い※

出所:  
 ※1: 自社/共同研究データ, ※2: Miura et al. PNAS. 2003, ※3: Terunuma et al. J Stem Cell Regen Med. 2019,  
 ※4: Mead et al. PLoS One. 2014, ※5: Sakai et al. J Clin Invest. 2012, ※6: Nakajima et al. BBRC. 2018

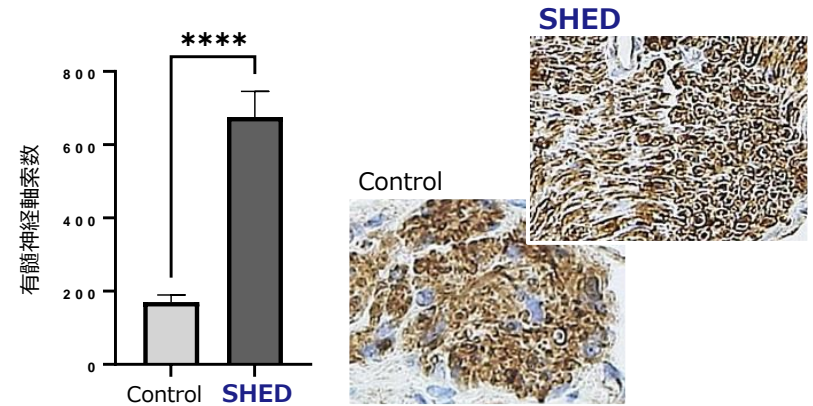
神経系および筋骨格系の疾患への応用を目的とした各アカデミアとの共同研究で、SHEDの高いポテンシャルを表すデータを蓄積した（許可を得られた範囲のみ開示）

## 脊髄損傷 (Spinal Cord Injury)



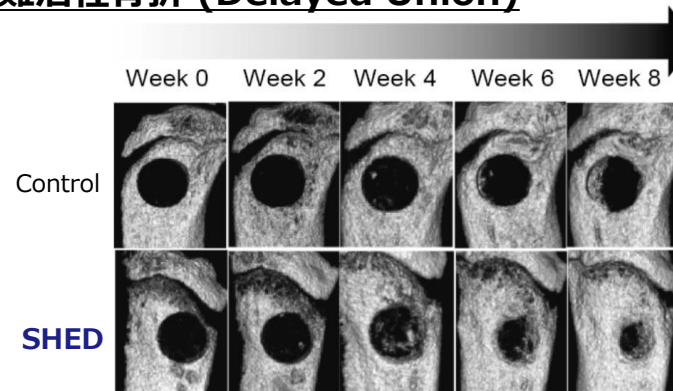
SHED投与により運動機能とグリオシスが改善

## 末梢神経麻痺 (Peripheral Nerve Palsy)



SHED移植により欠損した神経が再生

## 難治性骨折 (Delayed Union)



SHED移植により欠損した骨が再生

# 第一世代SHED “脳性麻痺”への取り組み



## <症状>

- 受胎から生後4週まで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

### アテトーゼ型



不随意  
姿勢が左右非対称

### 痙直型 (四肢・下肢麻痺)



筋肉のこわばり  
(痙縮・固縮)

### 低緊張型

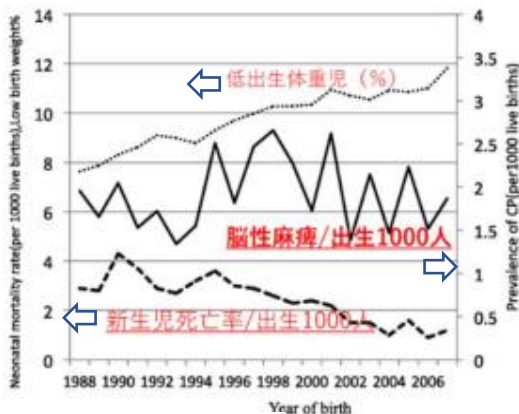


全身グニャグニャ

(出所：厚生省研究班(1968年))

## <発症率>

- 周産期医療が進歩しているにもかかわらず、脳性麻痺の発症率は減少していない。



国内患者数  
18歳未満：24,100人  
18歳以上：54,000人

(出所：内閣府 障害者白書(2013年) 付録8 障害児・者数の状況)

(Touyama M, et al. Brain & development. 2016改変)

## <原因>



- |  |  |   |
|--|--|---|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>脳形成異常</li> <li>低酸素状態</li> <li>胎内感染</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>早産</li> <li>出生時仮死</li> <li>頭蓋内出血</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>脳炎</li> <li>髄膜炎</li> <li>虚血</li> </ul> |
|--|--|---|

- 生後間もない時期には明確に診断できず、2歳以降に発達遅滞を伴い、脳性麻痺の症状が明らかになる事も多い

## <取り巻く環境>

- 指定難病、小児慢性特定疾患には指定されていない
- 脳性麻痺患児が成人するまでには、治療費や生活を支えるための費用が2,500万円～7,000万円※必要

(※出所：「産科医療補償制度を考える親の会」による試算)

### 産科医療補償制度：

- 一時金 600万円 + 補償分割金 (120万円/年 x **20歳まで**)
- 補償対象：**重症**※脳性麻痺、基準に該当しない場合は対象外
- 認定数は、約**1,400人** (2009～2015年) と、**全脳性麻痺患児数に比べて限定的**

※身体障害者等級 1級または2級 (上肢、下肢機能の全廃または著しい障害)

治療の現状	
急性期	<ul style="list-style-type: none"><li>• 出生直後の低体温療法のみだが、<b>十分な効果は期待できない</b>。また、出生時の障害程度が低くても、<b>2歳以降に発達遅滞を伴い、脳性麻痺の症状が明らかになる事も多い</b>。</li></ul>
慢性期 (2歳以降)	<ul style="list-style-type: none"><li>• 運動障害に対する治療で各種リハビリテーションが実施されているが、<b>その有効性を証明する十分な科学的根拠はない</b>。</li><li>• ボツリヌス療法や神経後根切除術などの治療法が開発されているが、<b>歩行器歩行はできても独歩に至らない例が数多くみられる</b>。</li><li>• 筋の短縮・関節の拘縮・骨の回旋変形などに対しては整形外科的手術が行われているが、<b>その効果は不明である</b>。</li></ul>

(出所：脳性麻痺リハビリテーションガイドライン 第2版 (2014年))

急性期だけでなく慢性期において運動機能を改善する  
新規治療法の開発が強く望まれている

## 当社が目指す脳性麻痺治療

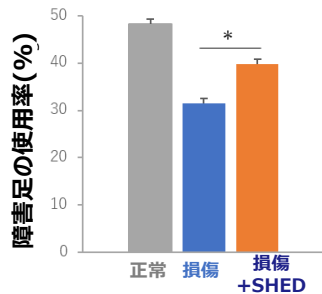
- **神経再生や筋力向上による運動機能の改善**
- **運動機能改善による就学・就労などの社会参加の促進**
- **患者の自立による家族（介護者）の負担低減**

## 慢性期脳性麻痺モデルの運動障害の改善を、世界で初めて“SHEDの投与”で確認

新生仔ラット低酸素性虚血性脳症(HIE)モデル

### 運動試験結果

シリンダーテスト



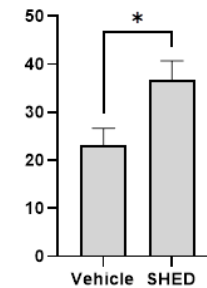
### 脳病理検査結果

神経軸索染色

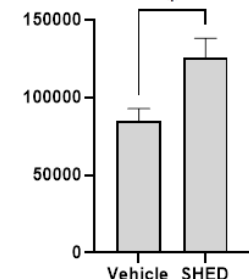


### 想定作用機序②：

神経軸索の伸長（脳内神経タンパク発現）



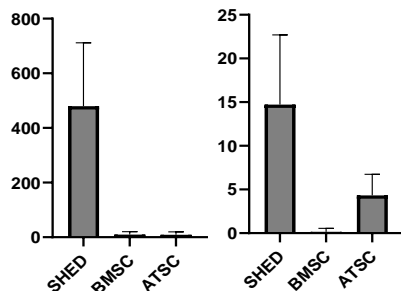
神経伸長マーカー



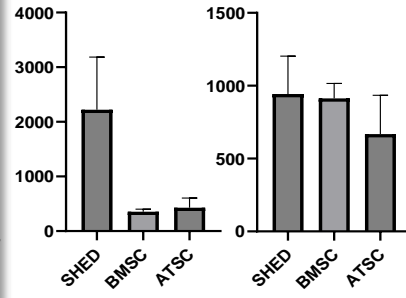
神経軸索タンパク

### 想定作用機序①：神経成長、血管新生、細胞遊走因子を分泌

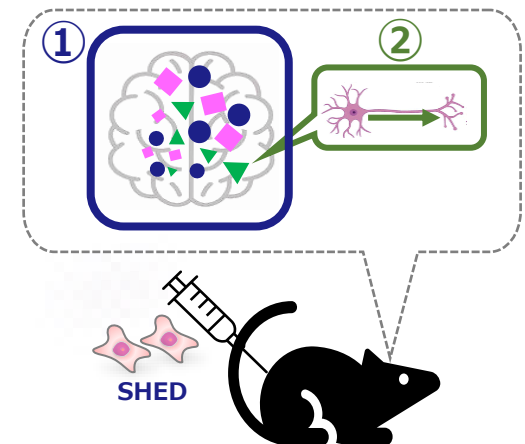
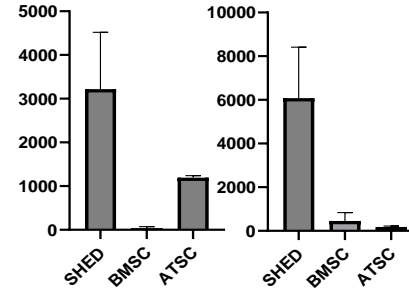
#### 神経軸索誘導



#### 血管新生因子



#### 細胞遊走因子



# 第二世代SHED

## 高い治療目標を達成するために第二世代SHED『デザイナー細胞』の開発を開始

- 新規遺伝子導入法の開発  
(例：ナノキャリア株)
- 新規培養法の開発  
(例：株)バイオメテイクスシンパシース)
- 各種導入遺伝子の効果検証  
(例：浜松医科大学、名古屋大学)



**開発疾患ターゲット※**

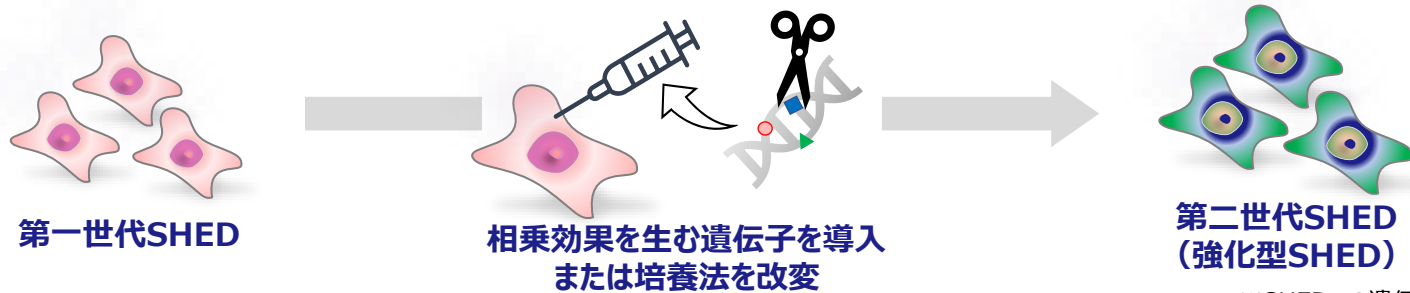
- 遺伝子疾患
- 神経変性疾患
- がん など

※ 第一世代SHEDで対象とする神経系および筋骨格系疾患（P.21）に加え

より高い機能を持つ強化型SHEDの開発を目指す



高い治療目標を達成するために遺伝子導入または培養法改変による  
“強化型SHED”の開発を推進



※SHEDへの遺伝子導入の流れ(イメージ)

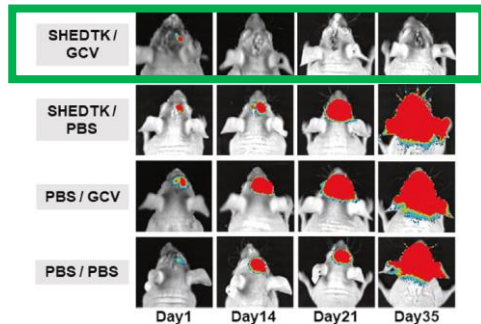
## 第二世代SHEDの対象疾患

### 1. 脳腫瘍

チミンキナーゼ導入SHEDと、  
ガンシクロビルの組み合わせによる  
画期的な抗腫瘍薬の創製

(浜松医科大学との共同研究)

*Cancer Gene Ther.* 2022

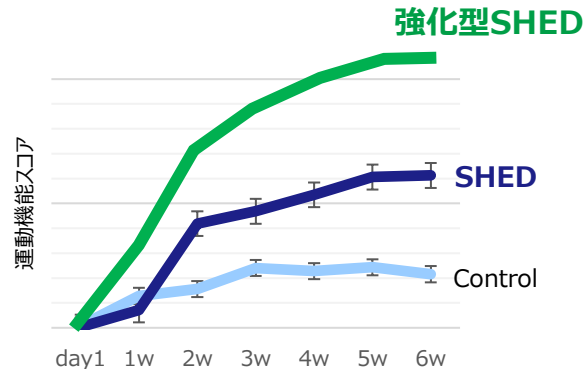


チミンキナーゼ導入SHEDの投与により  
脳腫瘍が消滅

### 2. 脊髄損傷

新規遺伝子導入による薬効増強型  
SHEDの創製

(名古屋大学との共同研究)



※図はイメージ

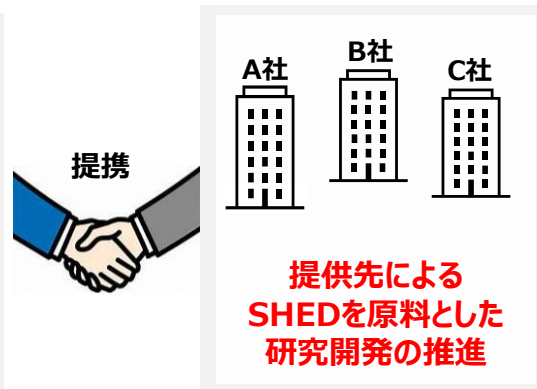
### 3. その他の疾患 (アルツハイマー病、 ALS、筋ジストロフィーなど)

新規遺伝子導入または培養法  
改変による病巣指向型SHEDの創  
製 (自社独自研究または(株)バイオメイクス  
シンパシズへの委託研究)

※詳細非開示

## 他のモダリティとのシナジー追求

## 自社及び提携先によるSHEDを原料とした他のモダリティ創製に活用

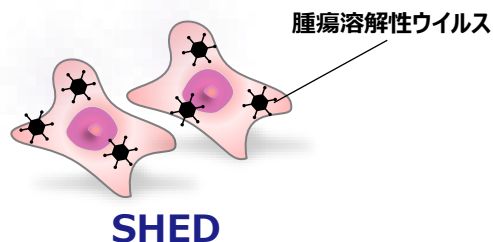


※提携先による研究開発から上市までの流れ(イメージ)

## SHEDを原料とした他のモダリティとのシナジー追求\*

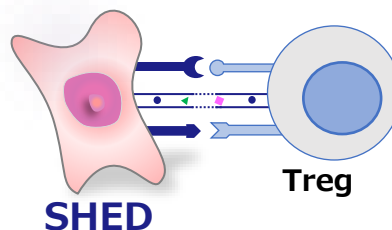
### 1. がん領域

腫瘍溶解性ウイルスのデリバリーシステムとしてSHEDを用いる



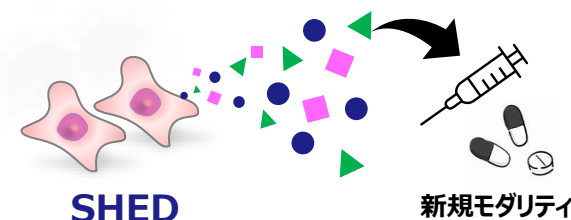
### 2. 自己免疫疾患（1型糖尿病、リウマチ、多発性硬化症など）

Treg細胞医薬の製造ツールとしてSHEDを用いる



### 3. その他の疾患（心不全、呼吸器不全、ミトコンドリア病など）

エクソソームやミトコンドリア等、新しい医薬品候補の原料としてSHEDを用いる



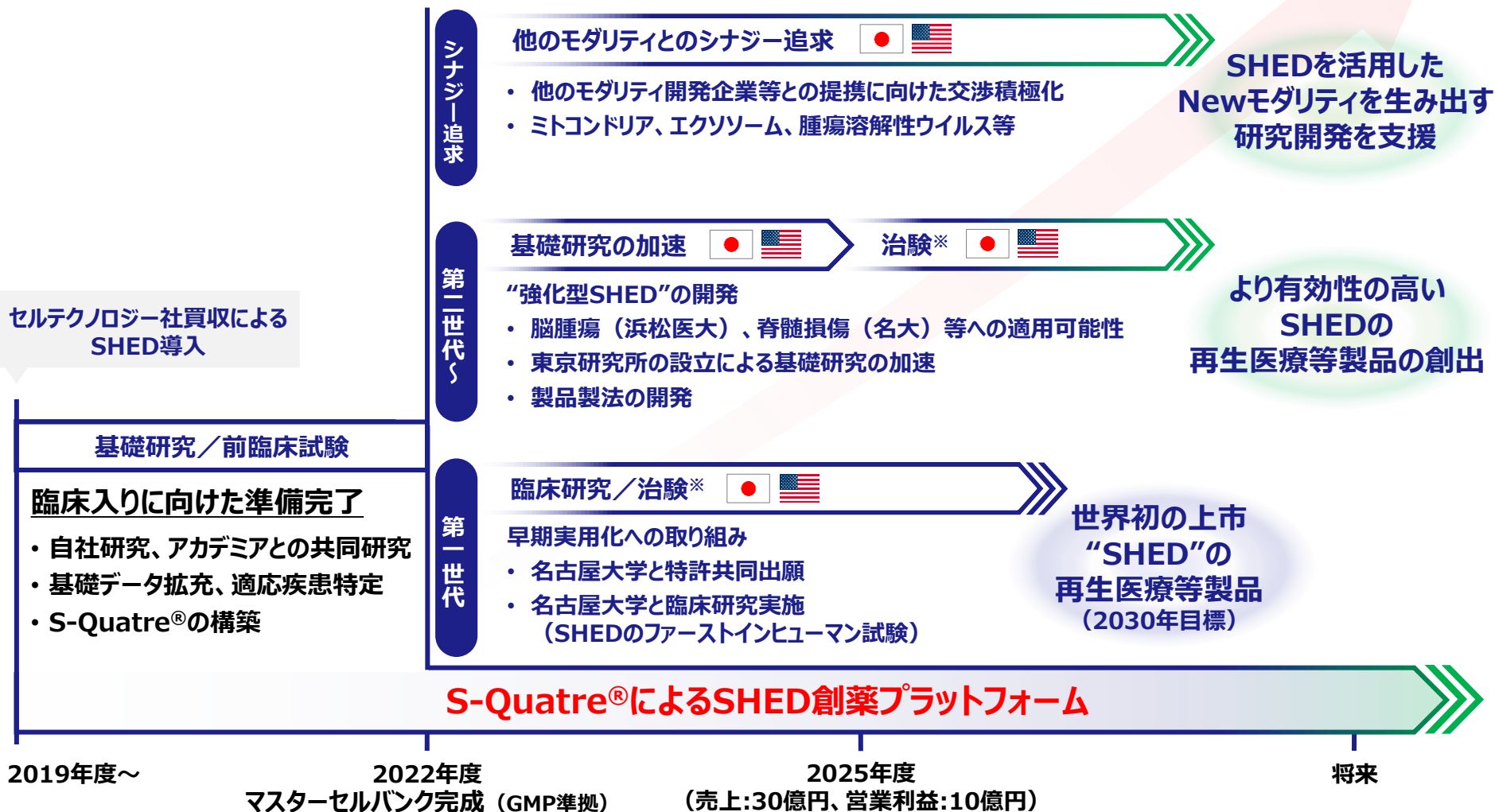
**\*複数の提供先候補との協議を継続的に展開中**

※表内イラストはイメージ図



# SHEDの研究開発戦略

## ヒトへの投与開始に向けたSHEDの研究開発を確実に遂行 結果に拘った経営を今後も持続し、企業価値向上を目指す

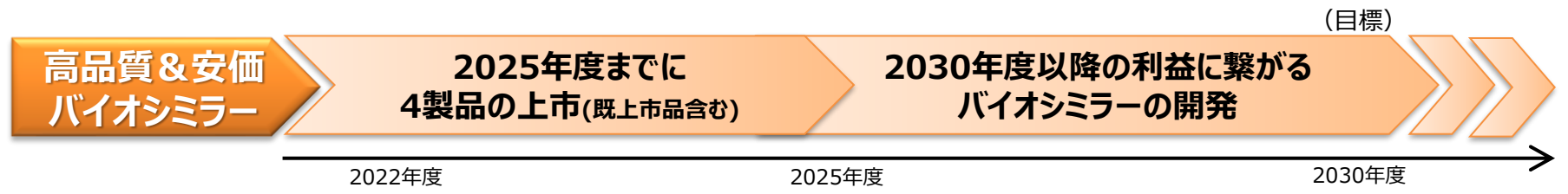


治療法が確立されていない疾患に対して、SHEDの再生医療等製品の創出を加速



# バイオシミラー事業

## 上市の実績 & 高効率な製造技術によるコスト競争力を基に、新たなバイオシミラー(BS)の開発に挑む



### 【新たなパイプライン】

- ・ バイオセイムの影響によってバイオシミラー市場の環境は厳しいが、**コスト競争力の高い新たなバイオシミラーの開発**を推進する
- ・ 年間薬剤費の高額なバイオ医薬品に対し、患者様と医療財政負担を大幅に軽減するバイオシミラーの創出を目指す

### 【上市実績】

2007年にバイオシミラー事業を開始してから約15年にわたり培ってきた開発・事業化の知見、経験値を基に、2012年以降の**圧倒的なトラックレコード**

開発品	GBS-001 (フィルグラスチムBS)	GBS-011 (ダルベポエチンアルファBS)	GBS-007 (ラニズマブBS)
概要	G-CSF製剤 (顆粒球コロニー形成刺激因子製剤)	持続型赤血球造血刺激因子製剤	抗VEGF抗体薬
対象疾患	好中球減少症	慢性腎臓病 腎性貧血	加齢黄斑変性症
開発パートナー	富士製薬工業(株) 持田製薬(株)	(株)三和化学研究所	千寿製薬(株)

### 【高産生技術】

**製造コストを圧倒的に低減し、コスト競争力と採算性を確保する**べく、人工染色体技術を有する株式会社chromocenter、Tapboost®技術\*を有するSOLA Biosciences社との共同研究を推進中

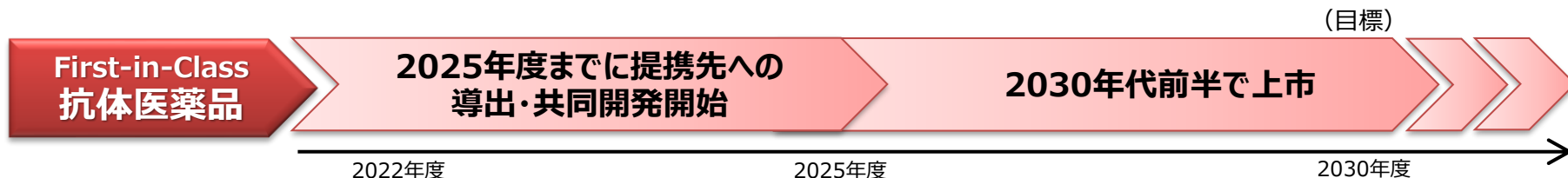
(\* 産生細胞株内で目的タンパク質の立体構造を正しく整える技術)

(株)Chromocenter	SOLA Bioscience
<b>人工染色体技術による遺伝子コピー数の増大</b> ⇒ mRNAを大量に作製	<b>Tap Boost技術による巻き戻し効率の増大</b> ⇒ タンパク質の大量作製

開発品	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
			Phase I	Phase III			
<b>GBS-001</b> フィルグラスチム	がん						富士製薬工業(株) 持田製薬(株)
<b>GBS-004</b> ベバシズマブ	がん						
<b>GBS-005</b> アダリムマブ	免疫疾患						
<b>GBS-007</b> ラニビズマブ	眼疾患						千寿製薬(株) Ocumension Therapeutics
<b>GBS-008</b> パリビズマブ	感染症						
<b>GBS-010</b> ベグフィルグラスチム	がん						
<b>GBS-011</b> ダルベポエチンアルファ	腎疾患						(株)三和化学研究所
<b>GBS-012</b> アフリベルセプト	眼疾患						癸巳化成(株)

# バイオ新薬事業(抗体医薬)

これまでにない全く新しい作用メカニズムの抗体医薬品の創出にチャレンジする



## ●がん領域

### ➤ 悪性リンパ腫に対する治療用抗体

患者様の免疫力に依存せず、直接的な細胞死を誘導する新しい作用機序の治療用抗体の創出

## ●循環器領域

### ➤ 肺高血圧症に対する治療用抗体

肺高血圧症の根本原因物質候補となる物質に対する阻害抗体を作成し、新しい治療用抗体の創出

### ➤ 血管炎に対する治療用抗体

血管壁での過剰な炎症を引き起こす原因物質を特定し、その物質を阻害する新しい作用機序の治療用抗体の創出

(株)カイオム・バイオサイエンスとの共同研究契約締結（2022年5月）

抗体医薬品開発における経営資源、知見、技術等を組み合わせ研究活動を推進

開発品	対象疾患	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			申請審査	承認上市	提携先
				Phase I	Phase II	Phase III			
GND-004	眼科疾患、がん	■	■						
GND-007	免疫疾患	■							
新規抗体	がん	■							札幌医科大学
	がん	■							MabGenesis(株)



## 悪性リンパ腫に対する新たな治療用抗体の創出

### 【対象疾患】

#### 悪性リンパ腫

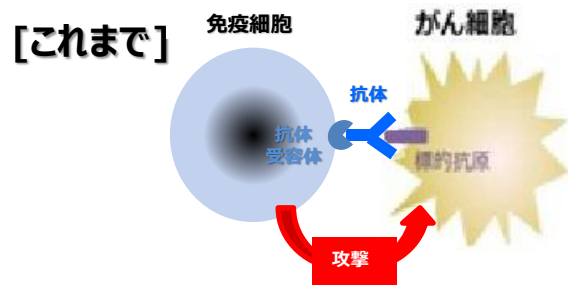
- リンパ腫は白血球の一部（B細胞、T/NK細胞）が、がん化する血液がん
- 小児がんの約10%を占める**

### 【現在の治療法の課題】

- 悪性度の高いリンパ腫に対する根治療法は少なく死亡率も高い
- B細胞リンパ腫の一部に対してCAR-T細胞療法が開発されたが、副作用が強い。また、治療費が高額（薬価 3,349万円）で、医療財政を圧迫している

### 【当社の目指す方向】

- 免疫力の低下している悪性リンパ腫の患者様にも高い有効性を示す画期的な治療用抗体の創出を目指す
- 悪性リンパ腫細胞に結合し、直接的に死滅させる全く新しい作用機序**を有する抗体の研究開発中



### 【市場概況※】

#### 既存治療法：CAR-T細胞治療

キムリア、イエスカルタ、テカルタスなど2020年度で全世界720億円の売上高だが、**2026年頃には3,000億円を超える**という予想もある。

化学療法等含めた医薬品の悪性リンパ腫国内市場は2021年時点で約800億円。

※株式会社グローバルインフォメーション「癌免疫治療薬の世界市場の分析・予測」を参考の上、想定される患者数と既存薬の薬価を基に当社独自に算定

## 血管炎に対する新たな治療用抗体の創出

### 【対象疾患】

#### 血管炎（川崎病など）

- 血管壁に炎症が起き、出血したり血栓を形成するため、臓器や組織機能が低下する難病
- 炎症が起こる血管の種類により分類されるが、その中で、**川崎病は川崎富作博士により1967年に発見された小児血管炎**
- 川崎病は、血管壁での過剰な炎症による発熱・発疹などの症状の他に、冠動脈瘤を高効率に合併する重篤な疾患。その原因は未解明

### 【現在の治療法の課題】

- 標準療法は免疫グロブリン投与。安全性に懸念がある他、15%程度の子供には効果が充分でなく、根治療法の開発が喫緊の課題となっている

### 【当社の目指す方向】

- 血管炎の原因を解明する研究を推進中
- **根本原因の物質特定を目指す**
- **原因物質の特定後、それに対する阻害抗体を作成し、川崎病を含む血管炎に対する画期的治療薬の創出を目指す**

### 【市場概況（当社試算）】

#### 川崎病

日本では毎年15,000人以上の子供が罹患。現在の治療法で**約40億円相当**の市場規模。

#### その他の血管炎

適応症が広がると**1,000億円超**の市場規模（日本）と試算。



（出典）川崎病研究班  
「診断の手引」より引用

## 肺高血圧症に対する新たな治療用抗体の創出

### 【対象疾患】

#### 肺高血圧症

- 肺高血圧症は、心臓から肺に血液を送る血管“肺動脈”の血圧が高くなり、心臓と肺の機能障害をもたらす予後不良な進行性の疾患群
- 未治療の場合の5年生存が50%の致死性疾患で、左心室機能不全、肺動脈肥厚、慢性閉塞性肺疾患など複数の原因がある

### 【現在の治療法の課題】

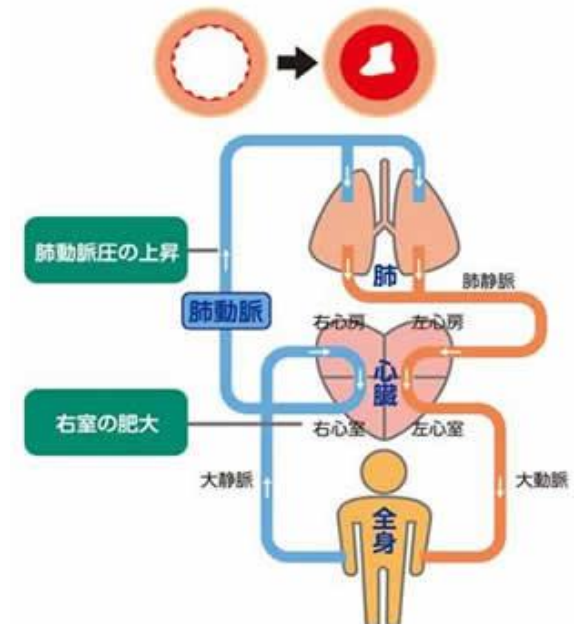
- 血管拡張薬による治療法があるが、病態の進行した患者様には治療効果が限定的である
- 患者数の多い左心機能不全や慢性閉塞性肺疾患に合併する肺高血圧症には効果が確認されていない

### 【当社の目指す方向】

- 肺高血圧症の**根本原因候補となる物質に対する阻害抗体を製中**
- 今後、作用メカニズムと動物モデルでの有効性を検証し、肺高血圧症に対する全く新しい治療薬の創出を目指す

### 【市場概況 (当社試算)】

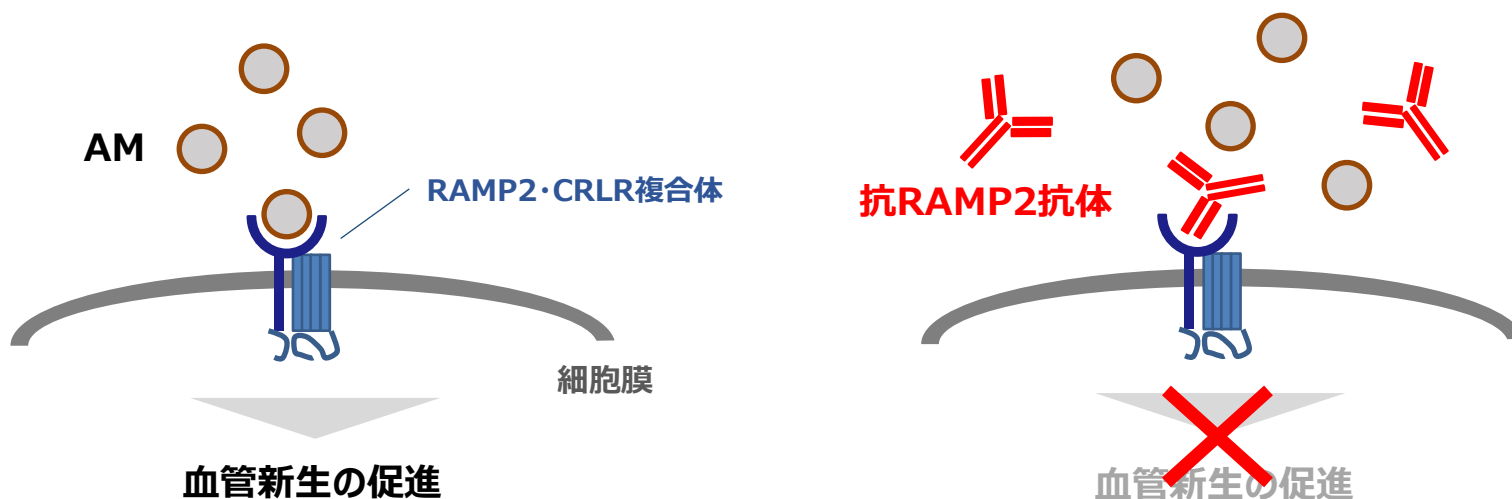
潜在患者数は国内25万人程度と推定。仮に、年間治療費用を400万円、潜在患者数の25%相当の患者様が治療を受けたとすると、**約2,500億円相当**の市場規模となる。



出典 京都府立医科大学循環器内科学HP

出願番号/出願日	発明の名称	特許番号	特許権者
特許2022-136364 (2022-8-29)	<b>抗RAMP2抗体</b>	特許第7202011号	キッズウェル・バイオ

- RAMP2 (Receptor Activity-Modifying Protein 2) :  
細胞膜表面で、カルシトニン受容体様受容体 (CRLR: Calcitonin Receptor-Like Receptor) と RAMP2・CRLR複合体を形成し、生理活性物質のアドレノメデュリン (AM: Adrenomedullin) と結合し、AM受容体として細胞内に情報を伝達することで、**血管新生**、血管保護などに関わる  
(例：病的な血管新生は、がん細胞の増殖を誘導する)
- **抗RAMP2抗体** :  
RAMP2・CRLR複合体と結合し、血管新生の促進を阻害する  
⇒ **病的な血管新生の促進を阻害できる可能性が期待できる**



# 市場環境の概況

- 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

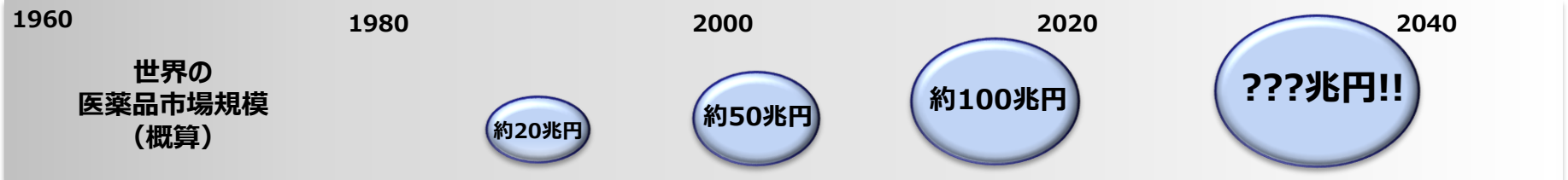
消化性潰瘍薬・生活習慣病薬

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

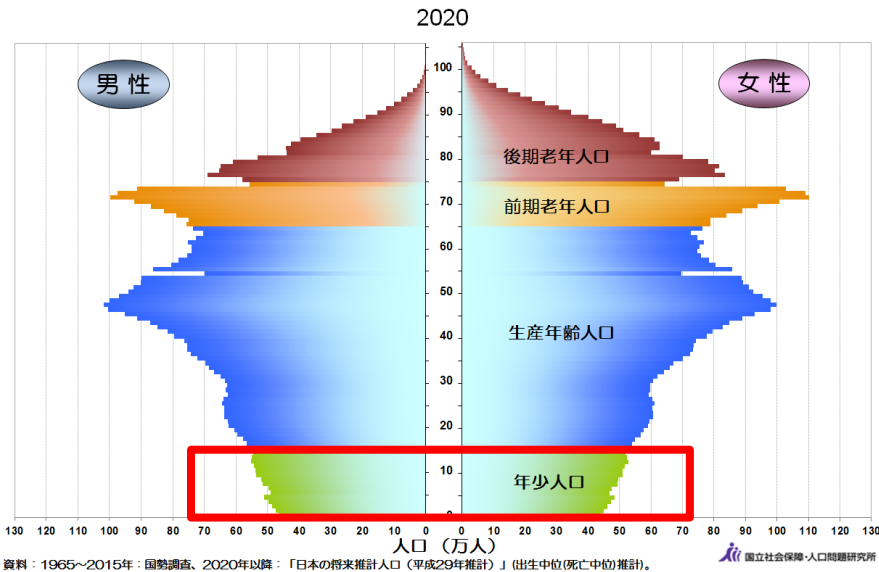


疾患の細分化  
個別化医療

- 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・若年層の医療の充実を図る重要性－

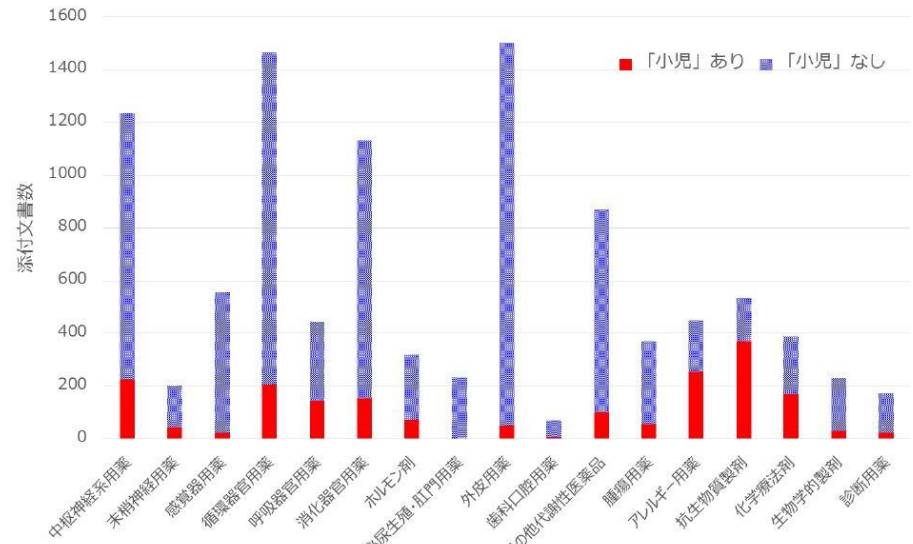
### 日本の人口ピラミッド



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/>)

- 年少人口（15才未満）の割合は全体の約12.5%であり、著しく低下している。
- 将来の世界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。

### 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/>)

- 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。日本全体が約8兆円で、約6.25%にあたる。

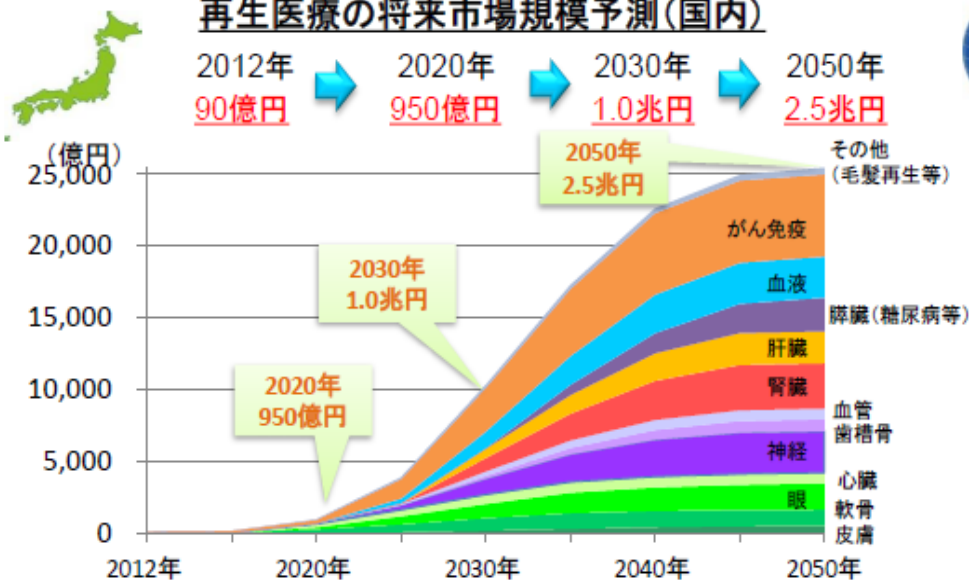
## 国内外の再生医療の将来市場規模予測



○ 再生医療の市場規模は、2050年には国内市場**2.5兆円**、世界市場**38兆円**となり、今後我が国にとって非常に大きな経済効果が期待される。

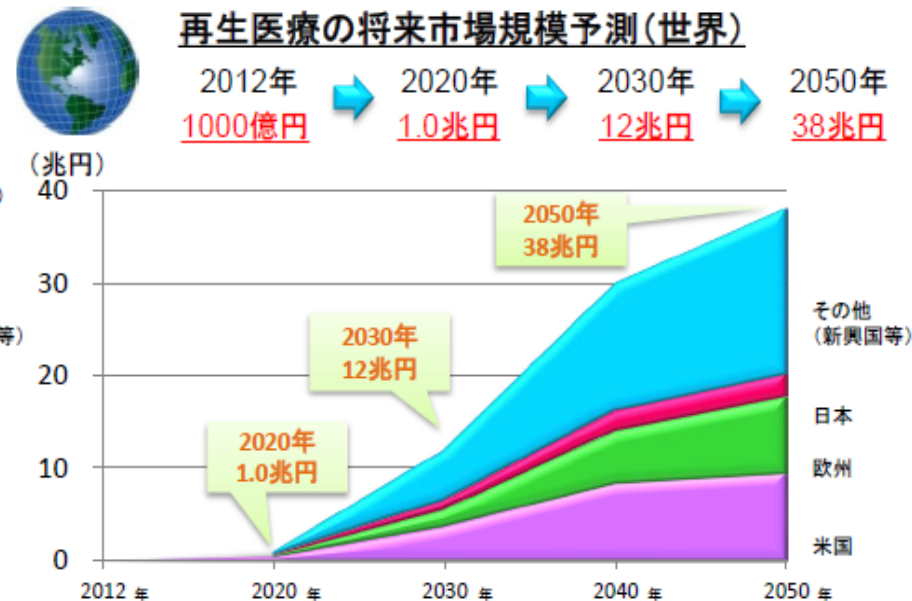
### 再生医療の将来市場規模予測(国内)

2012年 **90億円** → 2020年 **950億円** → 2030年 **1.0兆円** → 2050年 **2.5兆円**



### 再生医療の将来市場規模予測(世界)

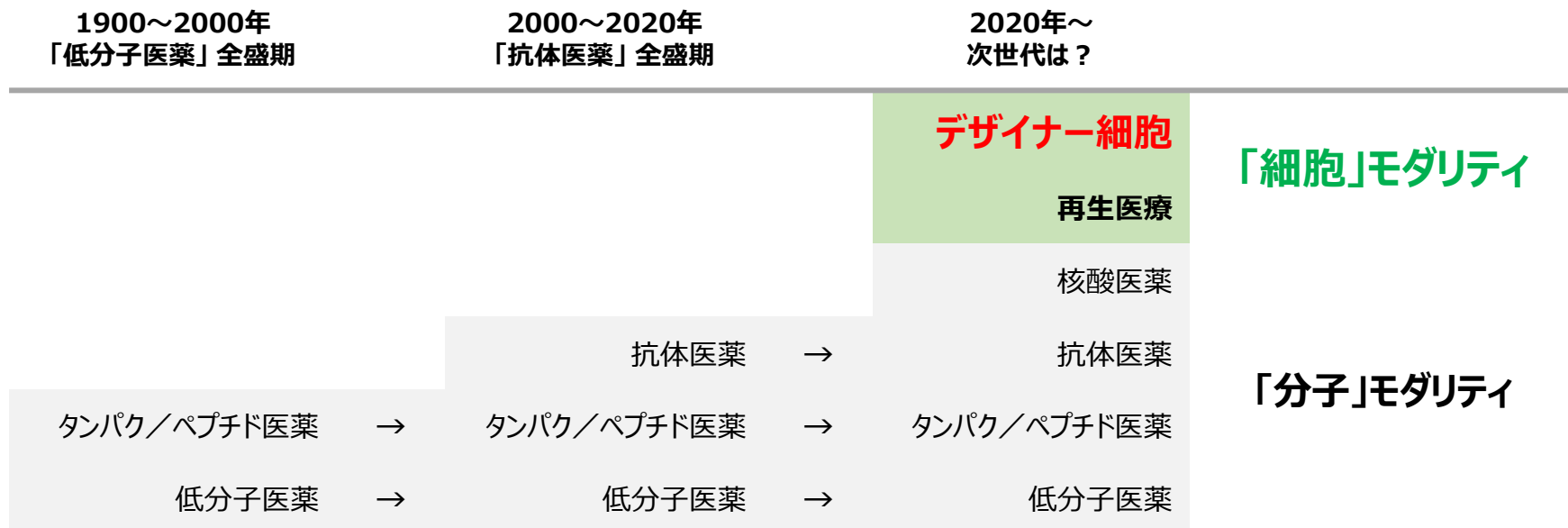
2012年 **1000億円** → 2020年 **1.0兆円** → 2030年 **12兆円** → 2050年 **38兆円**



再生医療市場は、今後も継続的に拡大  
**2030年には1.0兆円、2050年に2.5兆円**の市場規模が見込まれている

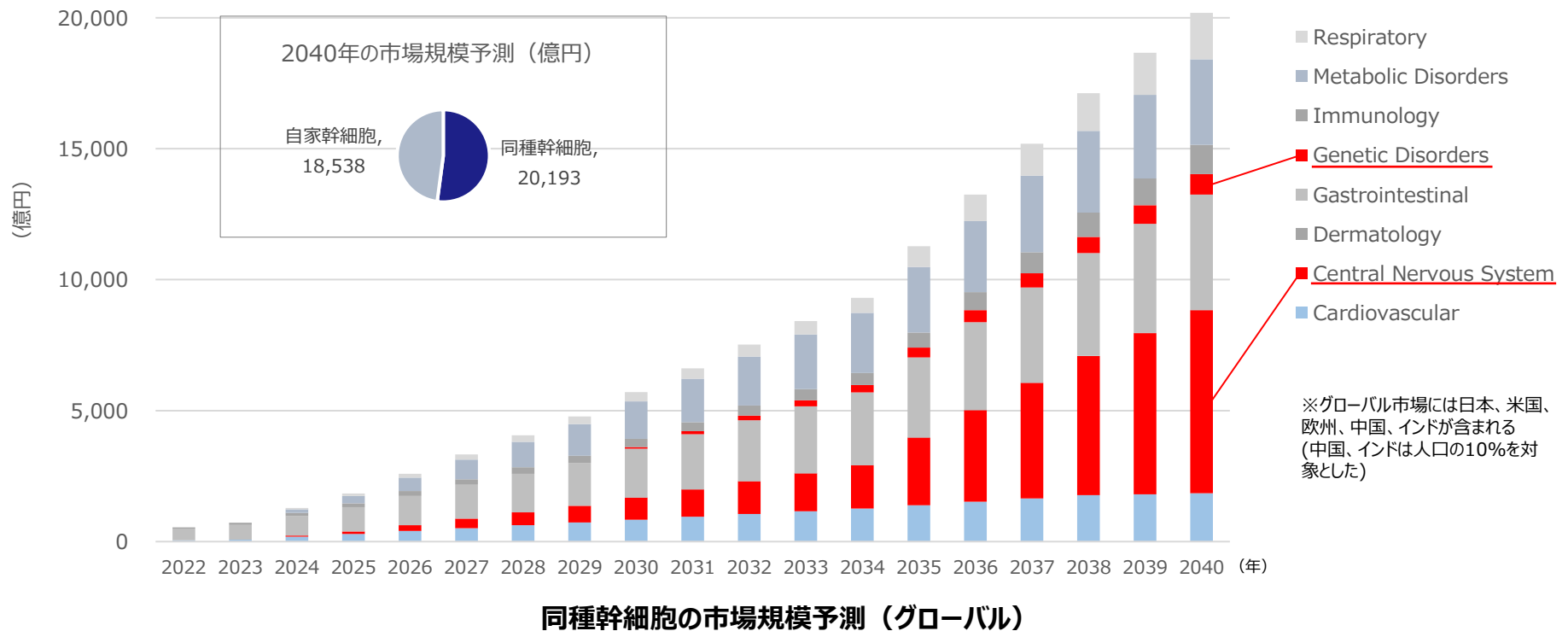


## 国内外の開発潮流の転換：根治療法確立のため『デザイナー細胞』医療へのシフト



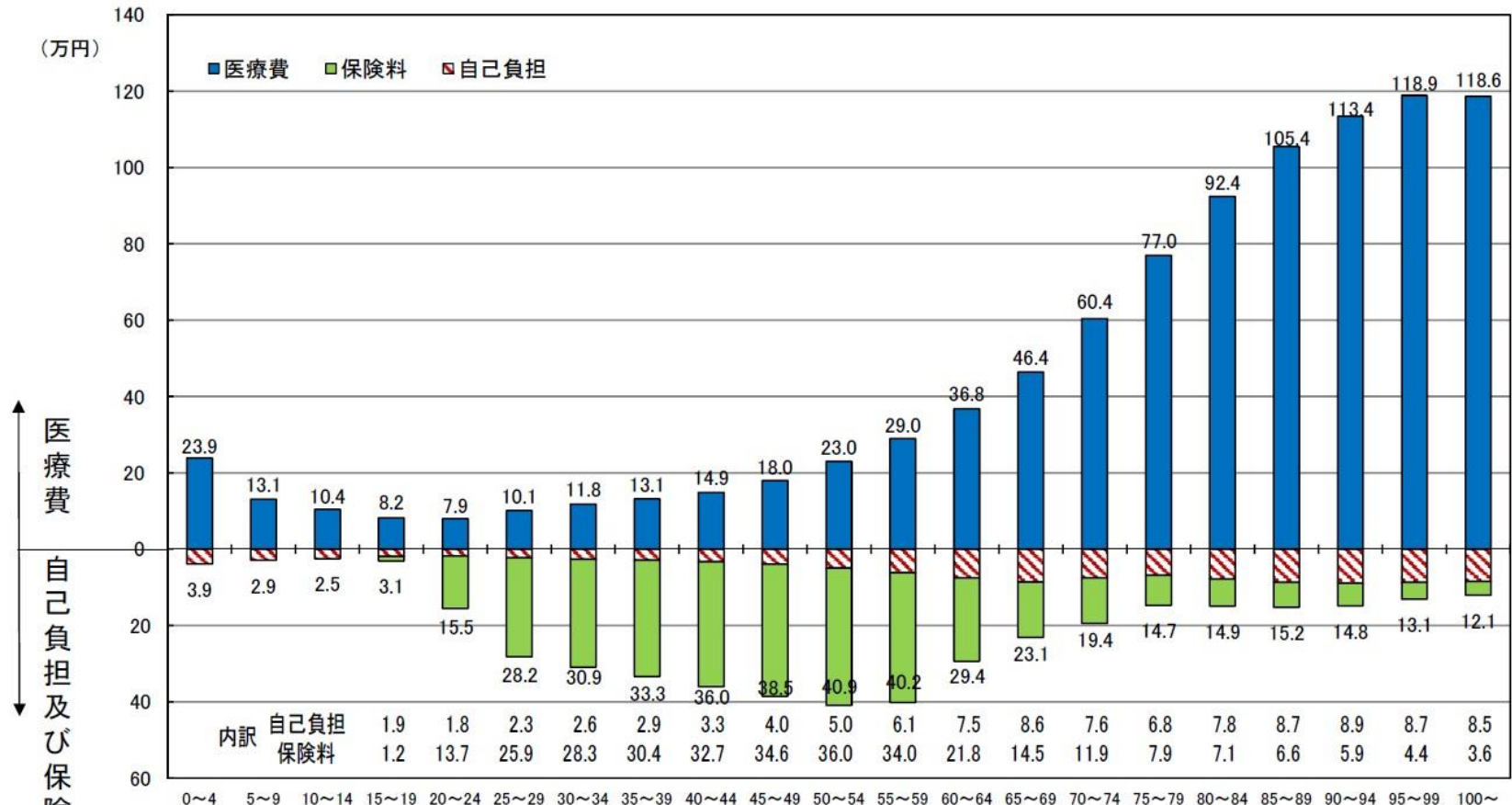
技術革新の速度向上によるモダリティ（治療手段のタイプ）の急激な**多様化**

## SHEDの対象とする神経系および筋骨格系疾患領域は、 2040年には7,000億~8,000億円規模の市場に成長

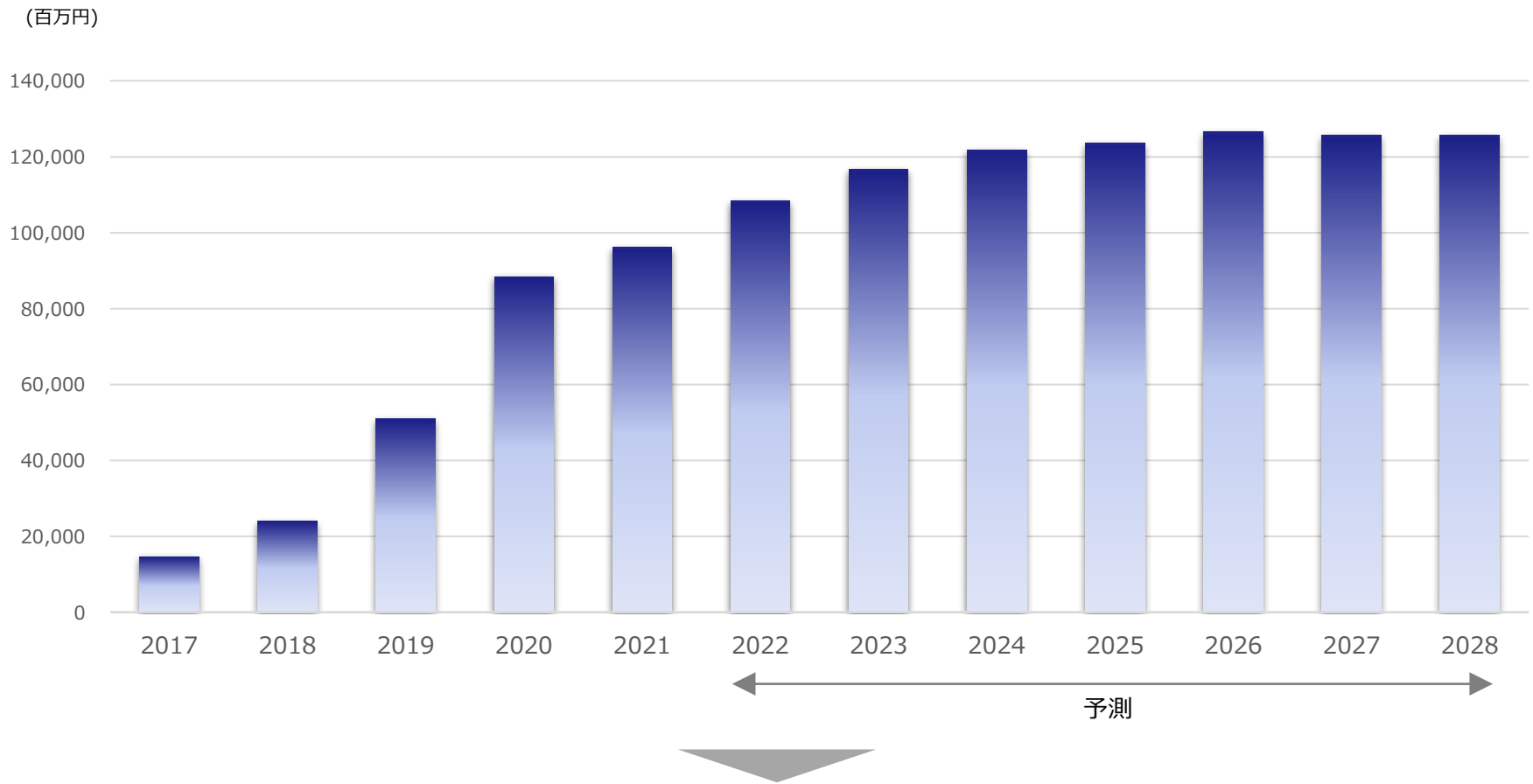


**今後伸びると予想される細胞医薬市場において、将来の収益性が見込めると判断  
当社の成長ドライバーであるSHEDの研究開発を加速 (KWB2.0)**

年齢階級別1人あたり医療費、自己負担額及び保険料の比較(年額)  
(平成30年度実績に基づく推計値)



(注) 1. 1人あたりの医療費と自己負担は、それぞれ加入者の年齢階級別医療費及び自己負担をその年齢階級の加入者数で割ったものである。  
 2. 自己負担は、医療保険制度における自己負担である。  
 3. 予算措置による70~74歳の患者負担補填分は自己負担に含まれている。  
 4. 1人あたり保険料は、被保険者(市町村国保は世帯主)の年齢階級別の保険料(事業主負担分を含む)を、その年齢階級の加入者数で割ったものである。  
 また、年齢階級別の保険料は健康保険被保険者実態調査、国民健康保険実態調査、後期高齢者医療制度被保険者実態調査等を基に推計した。  
 5. 端数処理の関係で、数字が合わないことがある。



バイオ医薬品（先発品）の特許切れが進み、2020年度のバイオシミラー市場規模は88,440百万円一般のジェネリック医薬品の数量ベースのシェアが80%に近づく中、バイオシミラー市場も急拡大している。

## 当社の上市済みバイオシミラーにおける市場規模

開発番号	対象疾患		市場規模※		合計
			先行品	バイオシミラー	
<b>GBS-001</b> フィルグラスチム	がん	抗がん剤の使用等による白血球（好中球）減少症	13億円	39億円	52億円
<b>GBS-007</b> ラニズマブ	眼疾患	加齢黄斑変性症等	290億円	—	290億円
<b>GBS-011</b> ダルベポエチンアルファ	腎疾患	慢性腎臓病における腎性貧血	433億円	156億円	589億円

（※2019年4月～2020年3月）

出所：NDBオープンデータ、各社決算資料等を基に当社算出

# 主要なリスク情報

# 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

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。



# KIDS WELL, ALL WELL

こどもの力になること、こどもが力になれること

