

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

個人投資家説明会資料

2024年11月1日

キッズウェル・バイオ株式会社

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

設立	2001年3月（北海道大学発のバイオベンチャー）
上場	2012年11月（東証グロース）
資本金	2,072百万円（2024年6月30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>

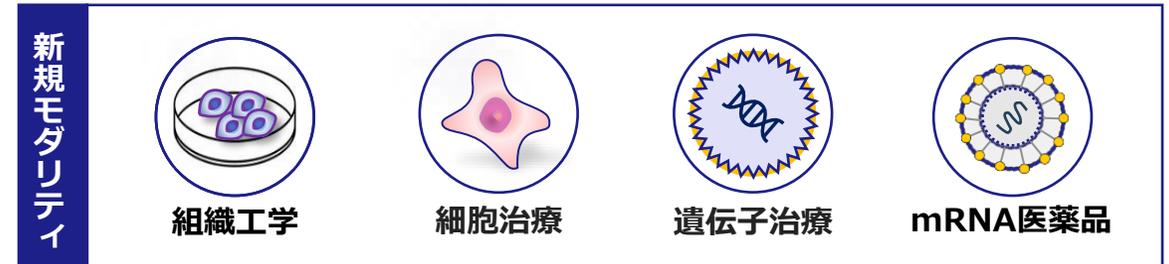
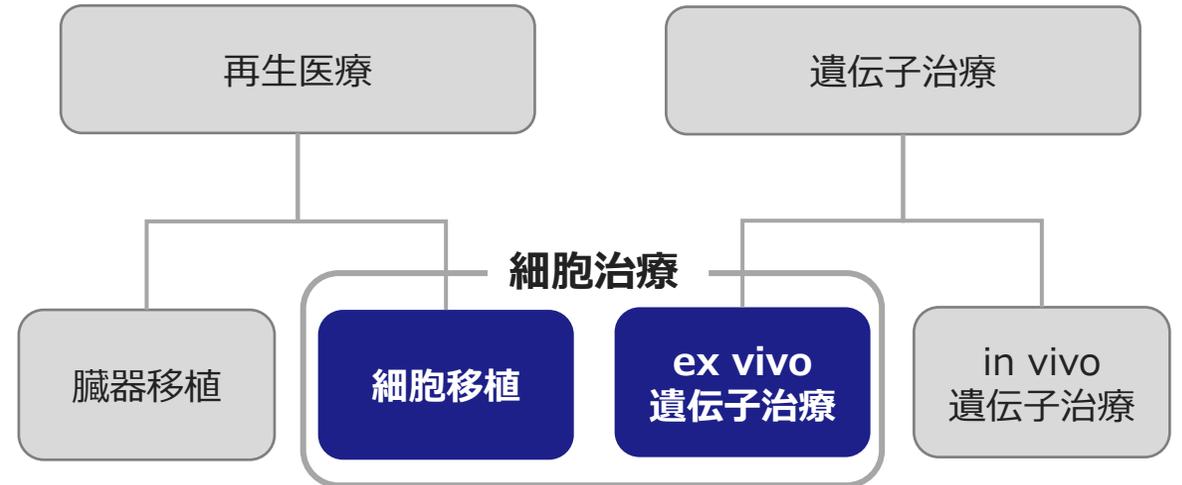
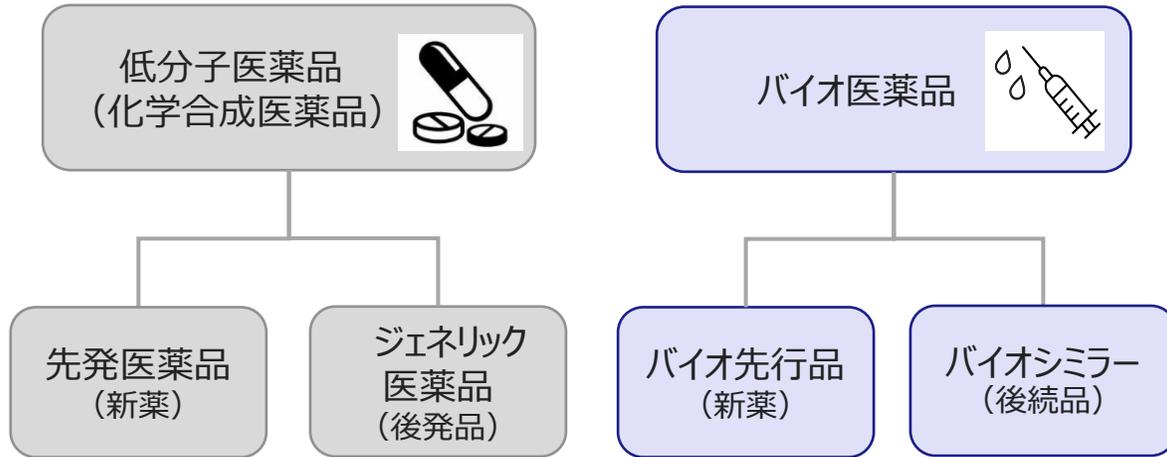
Agenda

目次

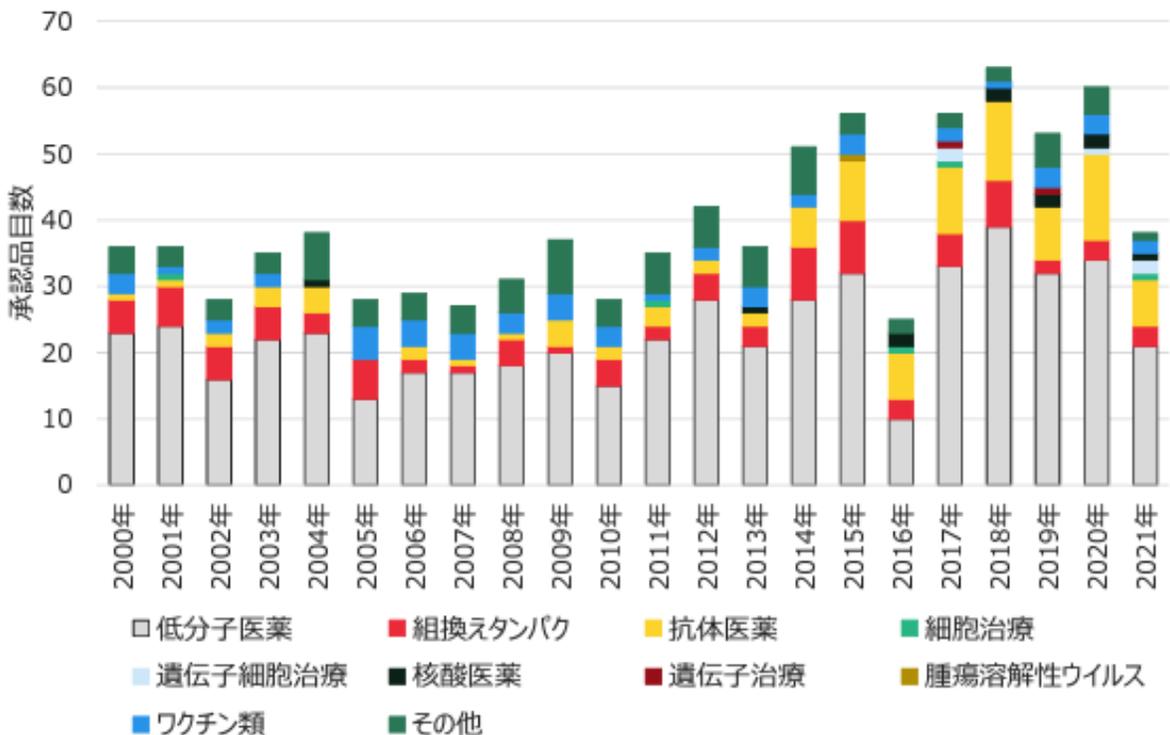
- ◆ バイオ・医薬品産業のトレンド
- ◆ 当社のご紹介
- ◆ 事業内容 -収益基盤と成長ポテンシャル-
 - ・ バイオシミラー事業
 - ・ 細胞治療（再生医療）事業
- ◆ エグゼクティブサマリー

バイオ・医薬品産業のトレンド

バイオテクノロジー、創薬技術の進展により低分子医薬品以外の数多くの医薬品が登場

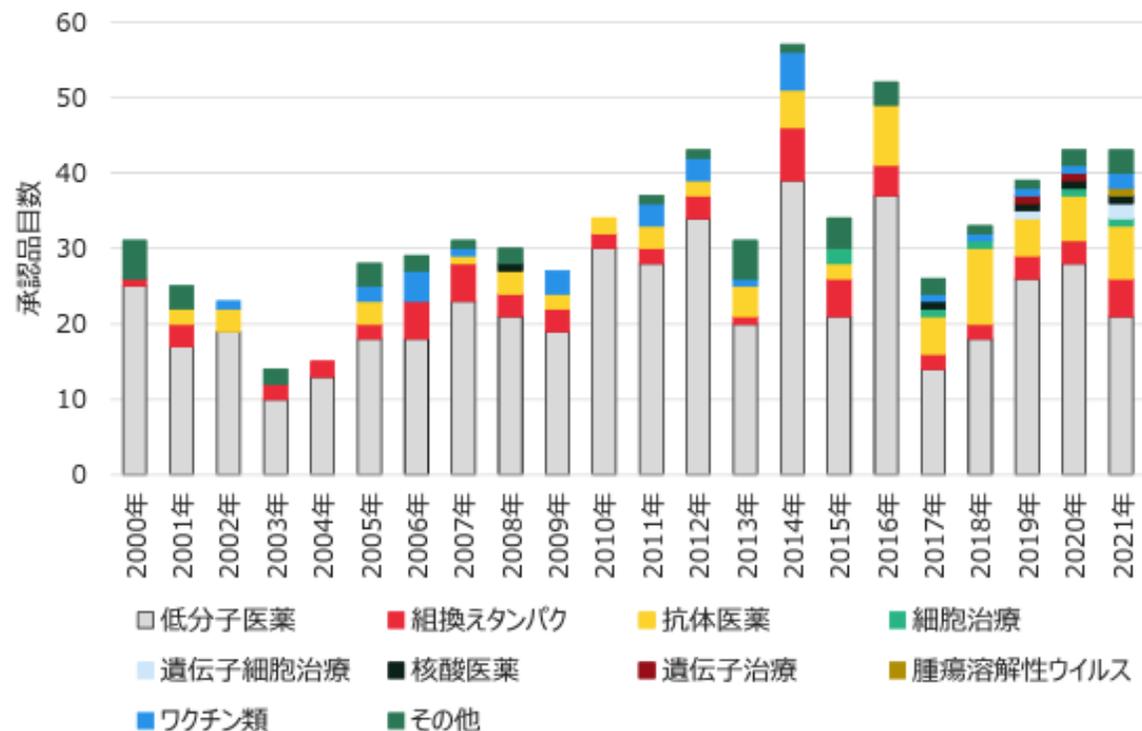


- バイオ領域の技術革新により、新薬の創出可能性が拡大
- アンメットメディカルニーズに対する画期的新薬の創出が進む



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）

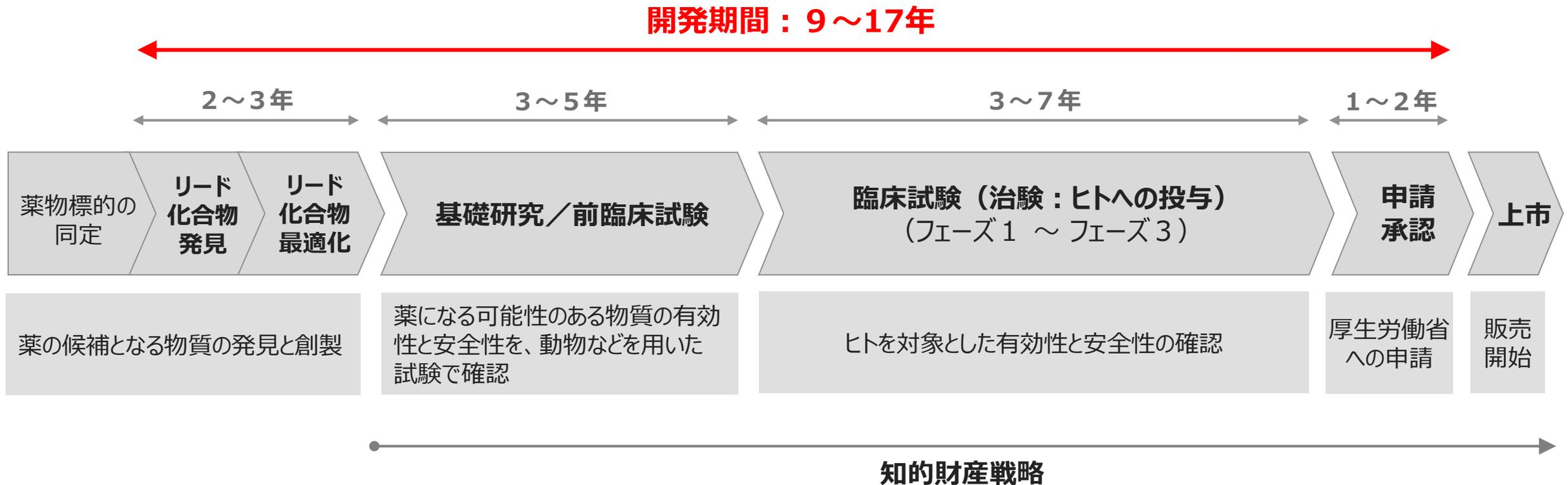
PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (独立行政法人医薬品医療機器総合機構)

ワクチン・治療薬を含め、売上高上位の半数以上がバイオ医薬品で占められる

※単位：100万ドル

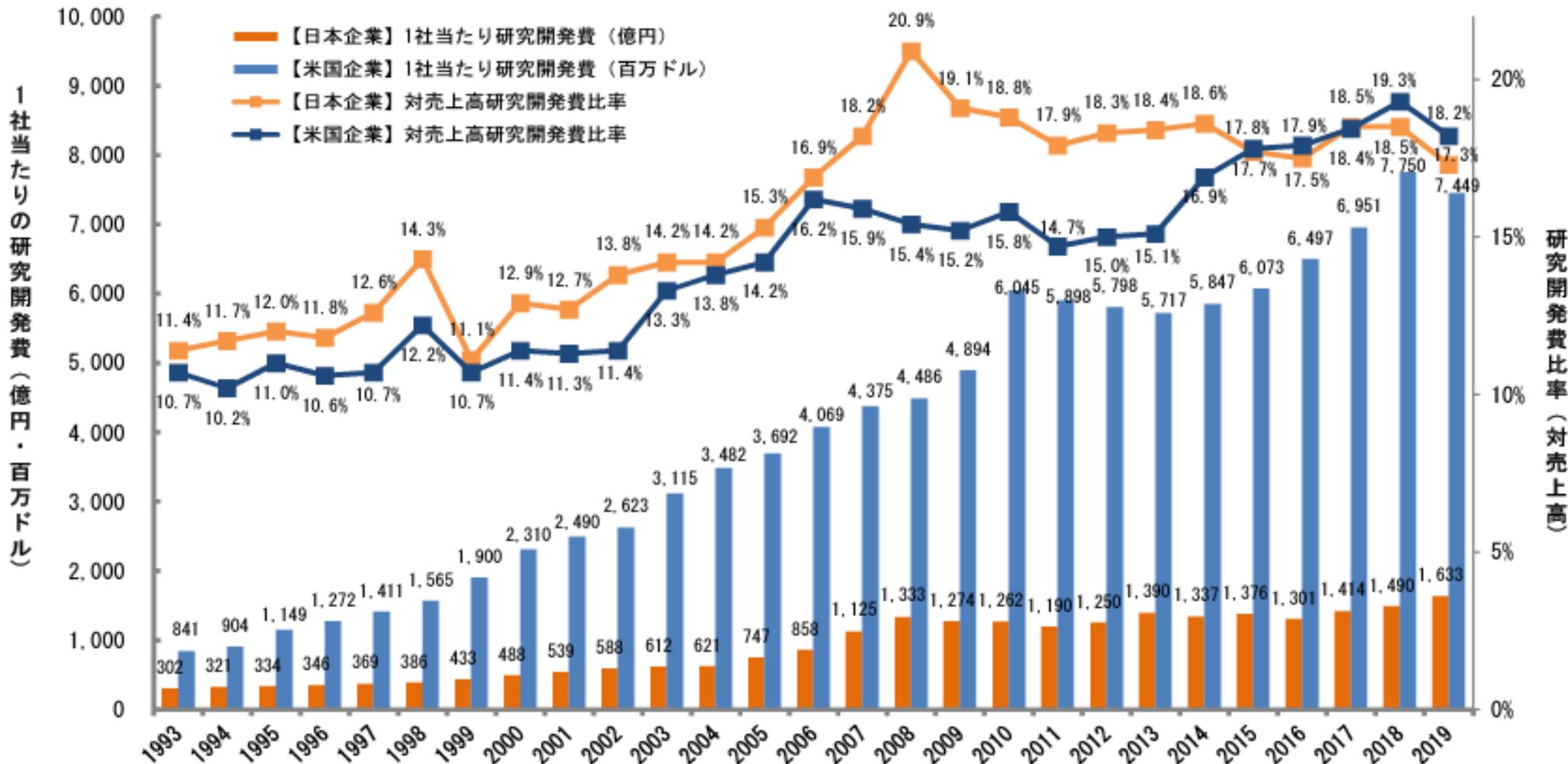
順位	製品名	2023年度の売上高※	領域	モダリティ	販売会社・起源会社
1	キイトルーダ	25,011	抗がん薬	抗体	メルク
2	エリキュース	18,953	循環器官用薬	低分子	BMS／ファイザー
3	ヒュミラ	14,569	筋骨格系用薬	抗体	アッビイ／イーザイ
4	オゼンピック	13,975	代謝性疾患系用薬	ペプチド	ノボルディスク
5	ビクタルビ	11,850	抗感染症薬	低分子	ギリアドサイエンシズ
6	デュピクセント	11,583	皮膚科用薬	抗体	サノフィ
7	ステラーラ	11,324	皮膚科用薬	抗体	J&J／田辺三菱製薬
8	ジャディアンス	11,103	代謝性疾患系用薬	低分子	ベーリンガー／イーライリリー
9	オプジーボ	10,040	抗がん薬	抗体	小野薬品工業／BMS
10	ダラザレックス / ダラキューロ	9,744	抗がん薬	抗体	J&J
11	アイリーア	9,379	感覚器官用薬	蛋白質	リジェネロン / バイエル
12	トリカフタ / カフトリオ	8,945	呼吸器官用薬	低分子	バーテックス
13	スキリージ	7,763	皮膚科用薬	抗体	アッビイ
14	トルリシティ	7,133	代謝性疾患系用薬	ペプチド	イーライリリー
15	オクレバス	7,102	神経精神系用薬	抗体	ロシュ

- 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

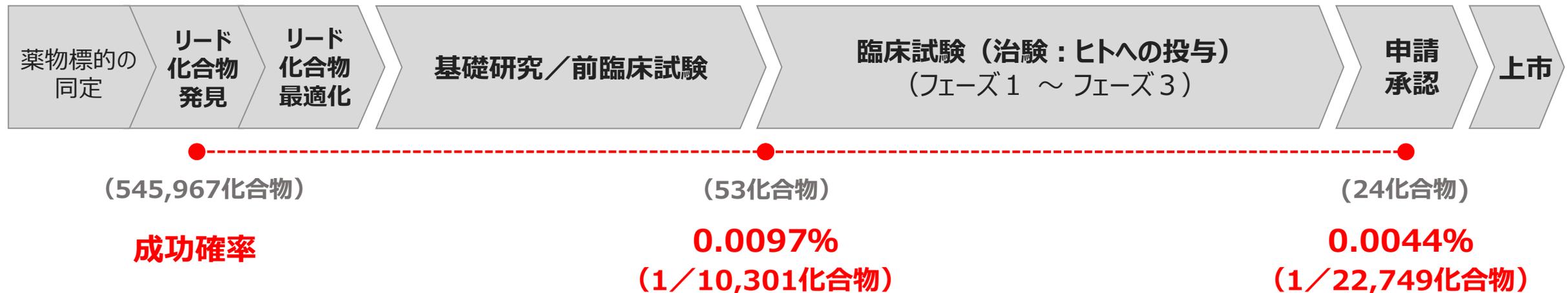


特許権の有効期間：特許出願の日から20年後まで。医薬品分野の特許に関しては特例で5年間の延長可能

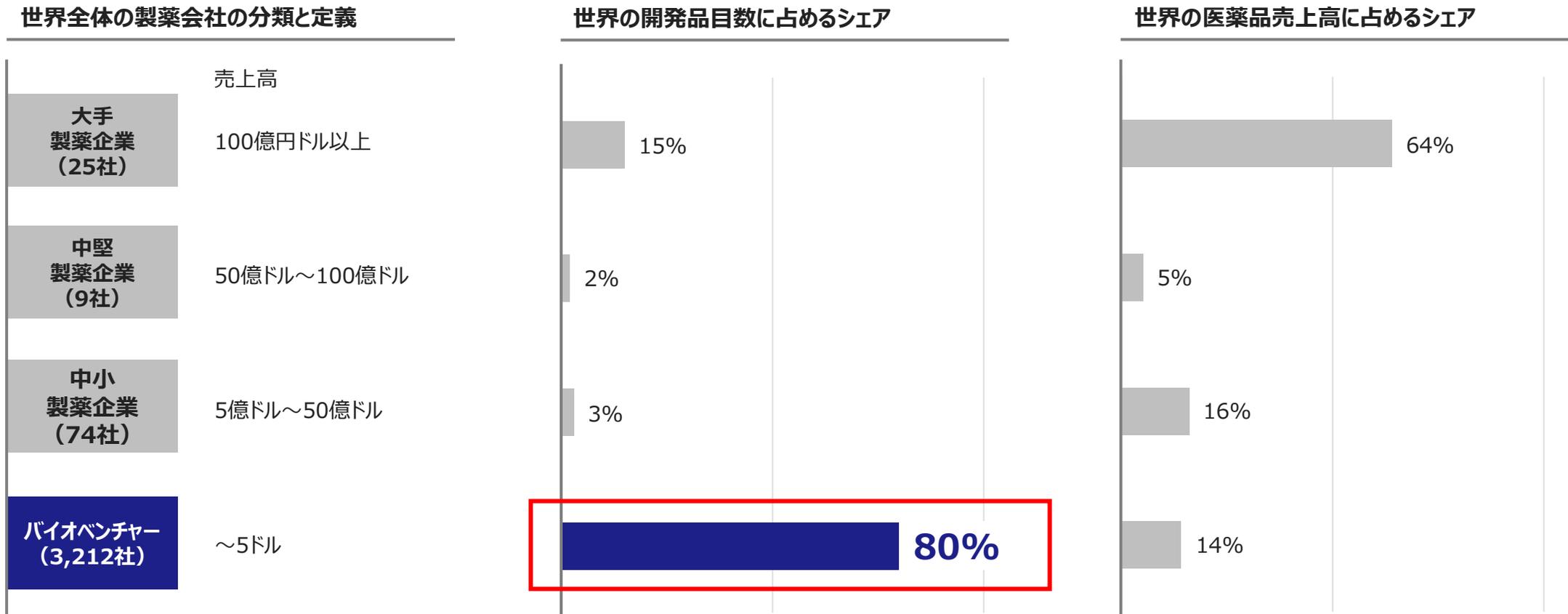
- 近年、医薬品開発の難易度が上昇しており、研究開発費が増加している
- 新薬の上市に必要な開発費は1,395百万ドル（約2,000億円、2014年）※ に達する



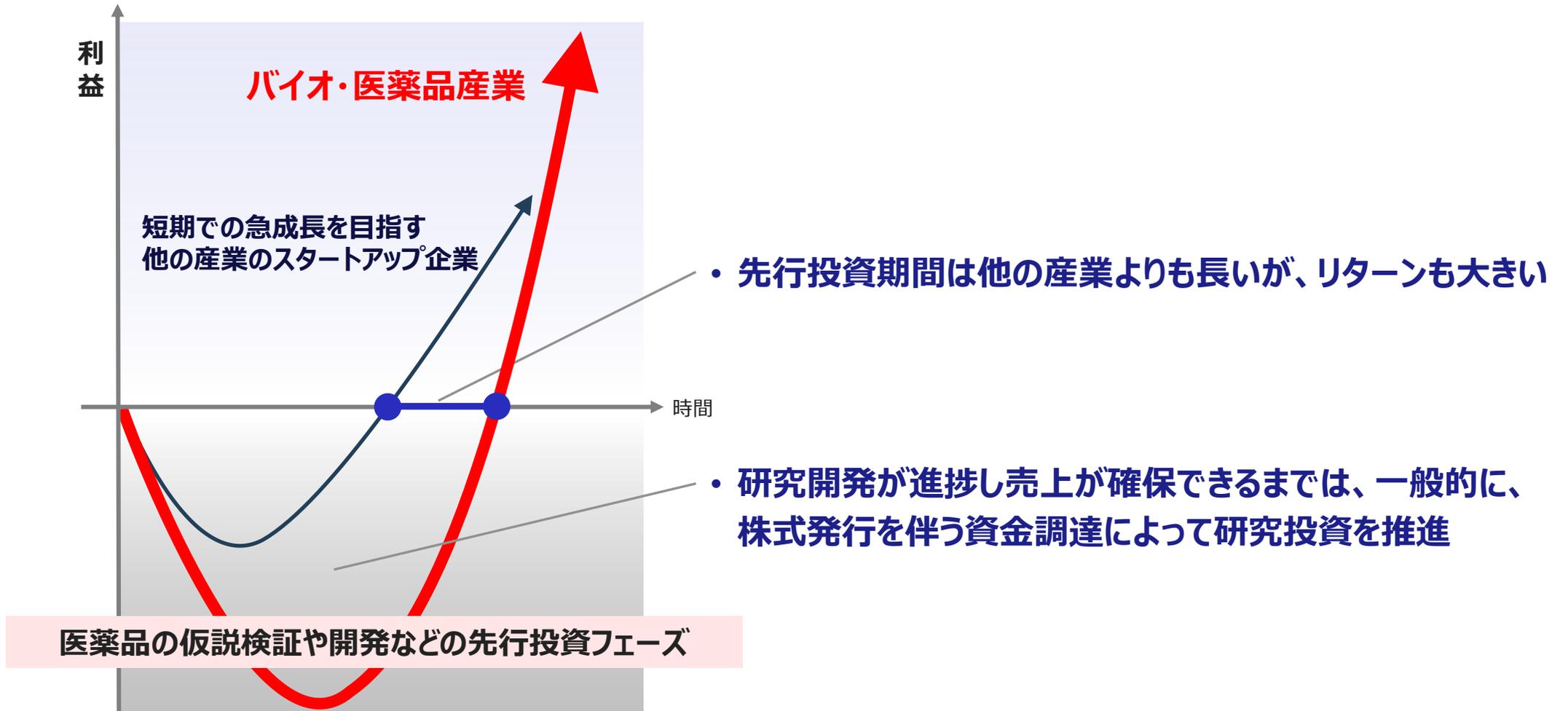
- 成功確率は年々低下し、医薬品の研究開発の難易度が上昇
- モダリティが多様化する中では、新しい要素技術を組み合わせた研究開発も必要となるため、さらにその難易度が高まっている



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、開発は製薬企業が担うという流れが明確に



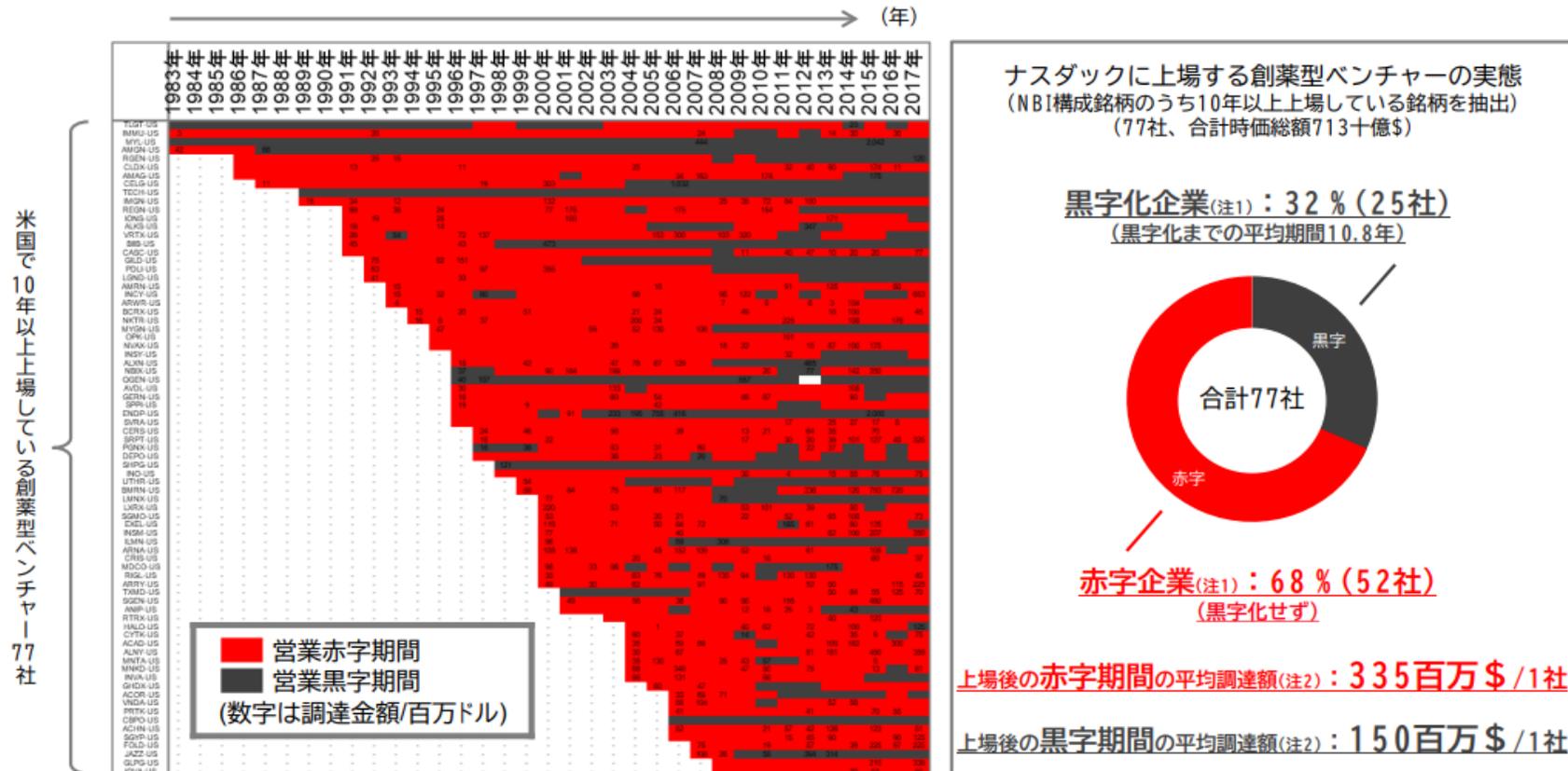
バイオベンチャー企業は他の産業よりも多額の先行投資と長期の先行投資期間が必要だが、成功に伴う収益は先行投資を大きく上回る



米国バイオベンチャー企業は、上場後の資金調達により成長を加速

課題 米国の上場創薬型ベンチャーをみると、投資家に支えられた上場後の資金調達が成長を加速

NBI (ナスダックバイオテクノロジーインデックス) 構成銘柄の営業赤字期間/資金調達額等
(NBI構成銘柄198社のうち10年以上の期間上場している77社を分析/2018年4月時点)



当社のご紹介

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

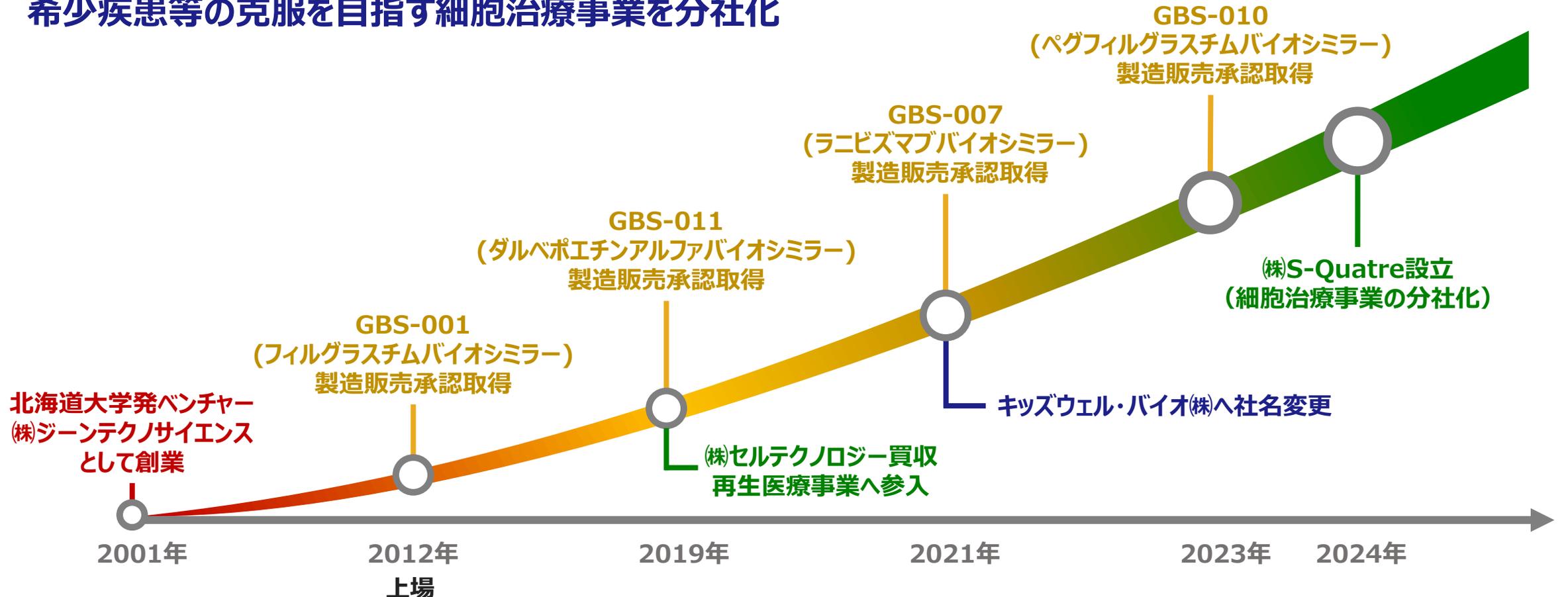
紅林 伸也 (くればやし しんや) 代表取締役社長



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 (新任)	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 (新任)	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 (株)S-Quatre代表取締役社長	三谷 泰之	
	開発本部長	川上 雅之	元 富士フイルム(株)
	生産本部長	坂部 宗親	元 富士フイルム(株)

- 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



事業内容 -収益基盤と成長ポテンシャル-

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）

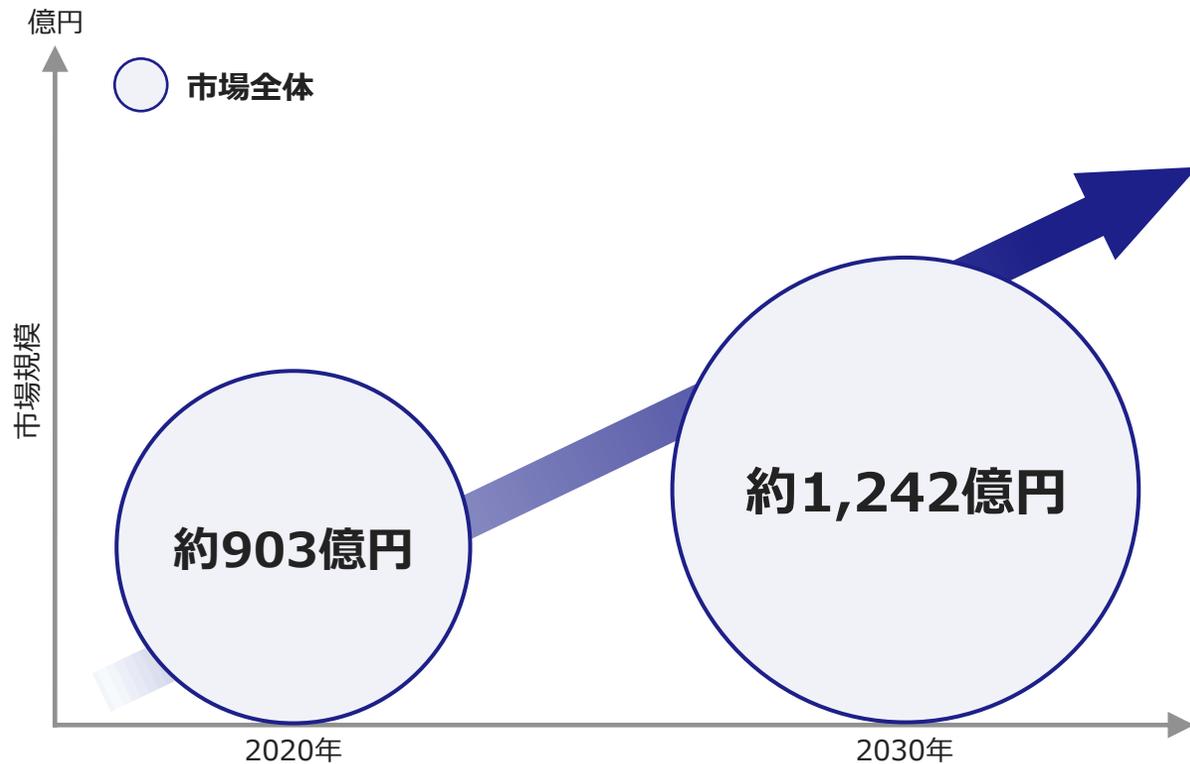
S-Quatre

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

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

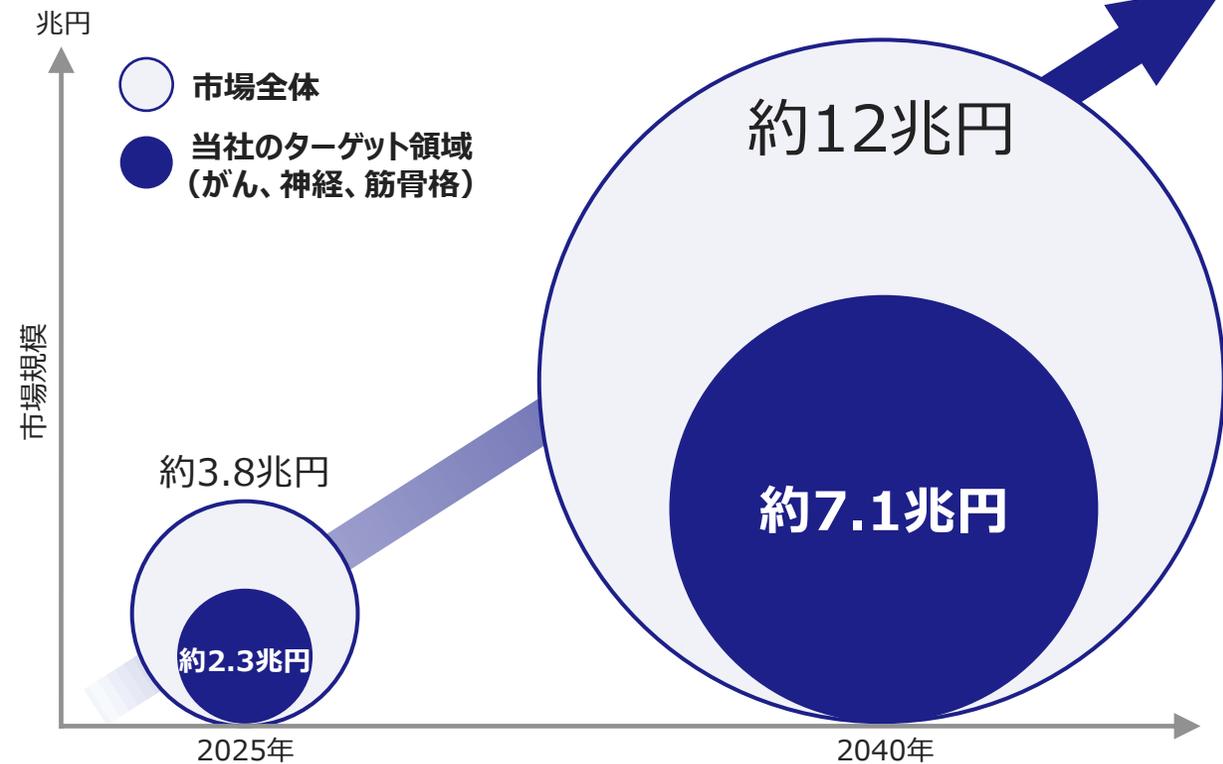
バイオシミラーの市場予測



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

開発パートナー（製薬企業等）とのコラボレーションを目指し、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

**バイオシミラー
事業**

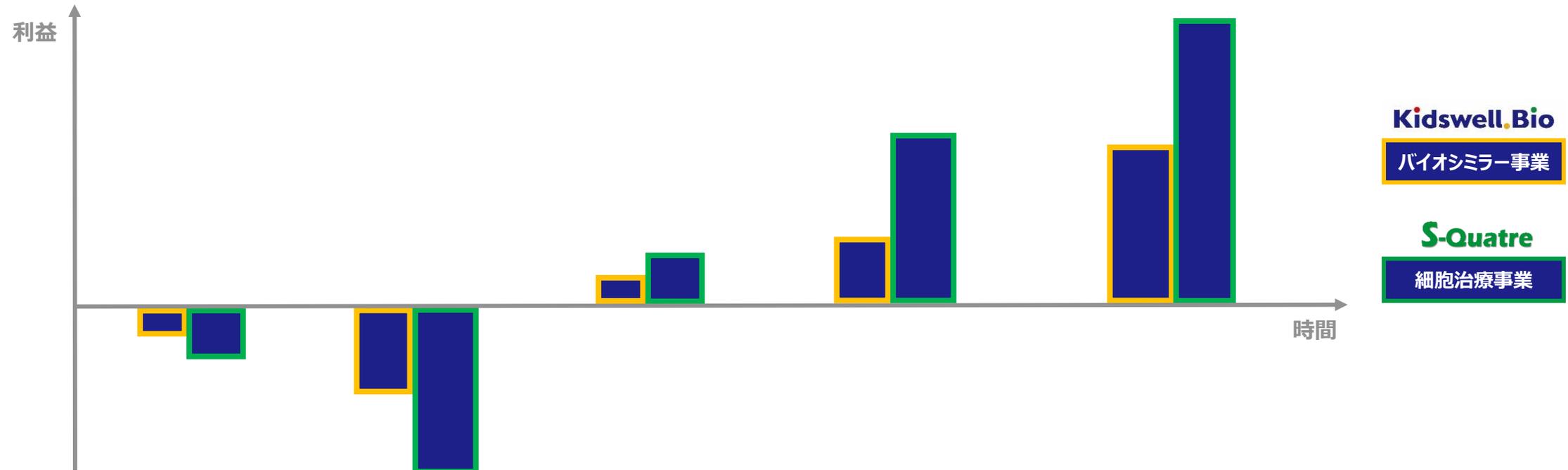
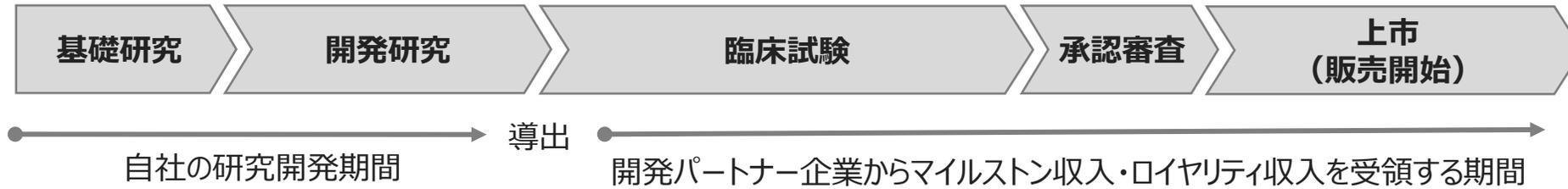


S-Quatre

**細胞治療
事業**



バイオシミラー事業：ローリスク・ミドルリターン型収益モデル
細胞治療事業：ハイリスク・ハイリターン型収益モデル



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

- 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

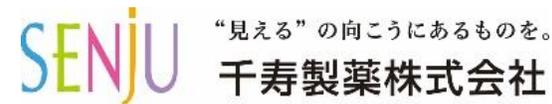
ダルベポエチンアルファバイオシミラー
(2019年9月：承認取得)



- 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)



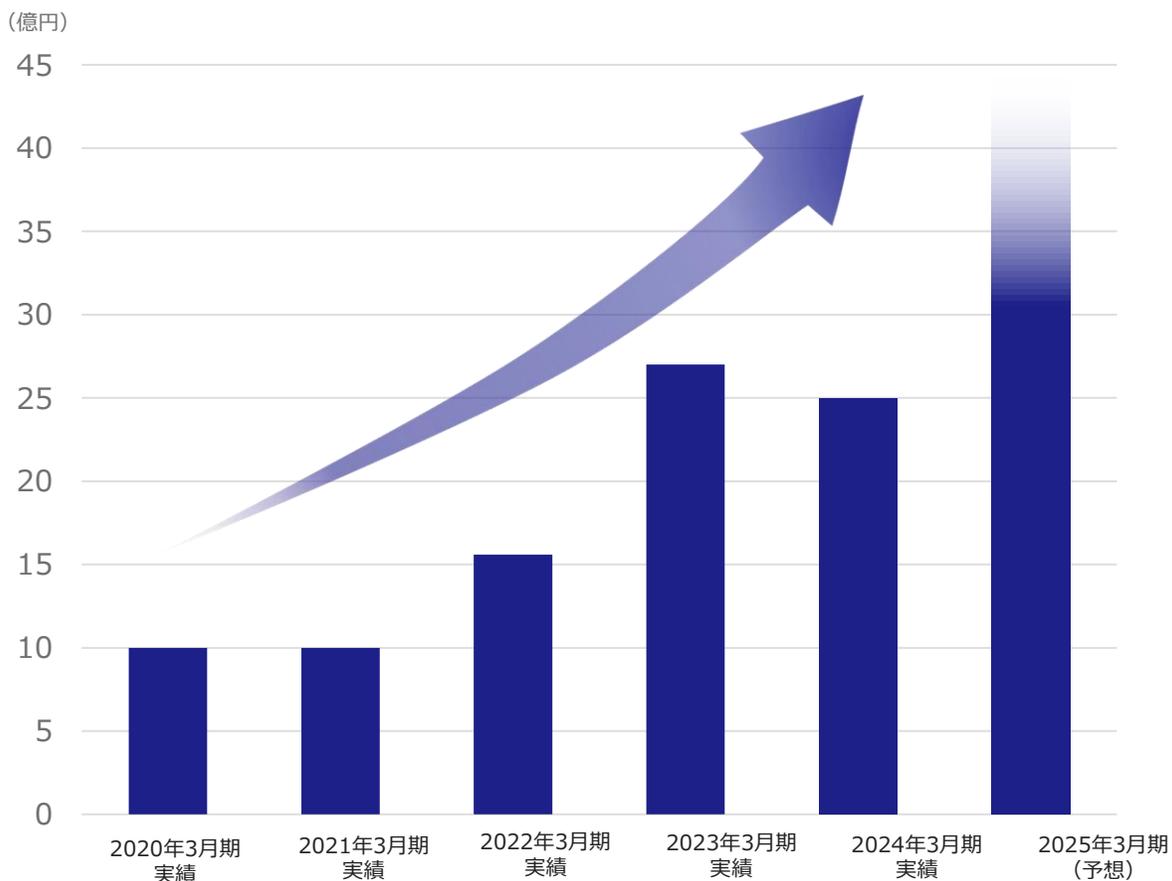
- 持続型G-CSF製剤ペグフィルグラスチムのバイオシミラー
- 2023年9月時点で競合他社によるバイオシミラーの承認はなく単独での承認取得

- 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**

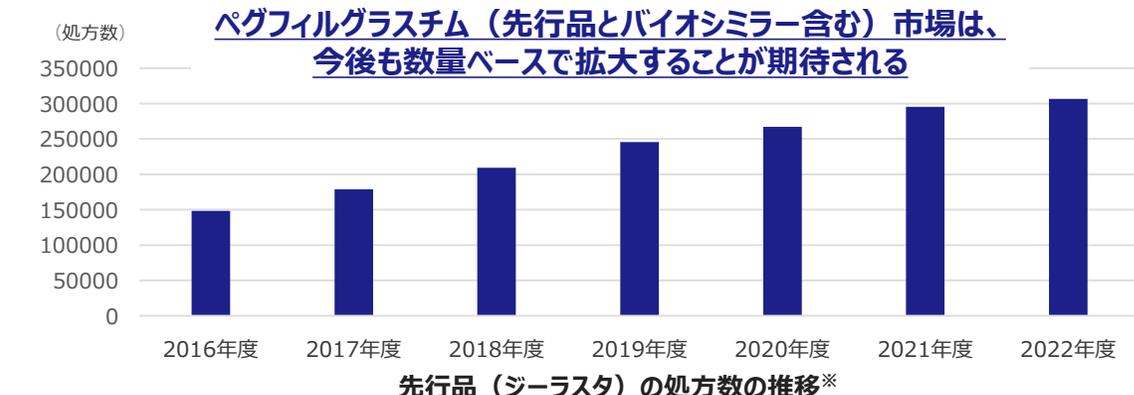
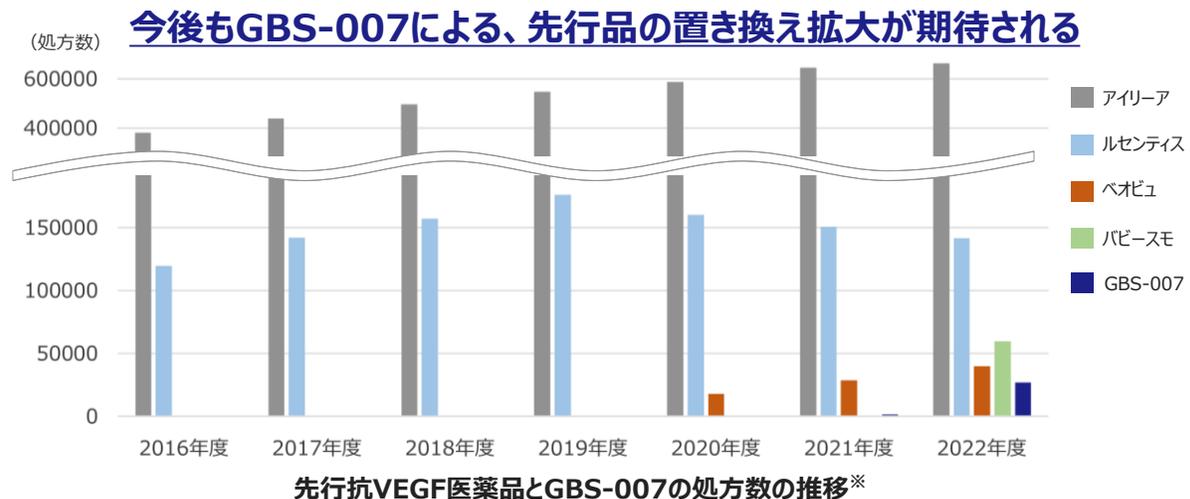
国内で承認されたバイオシミラー一覧（全19製品）※2024年6月末時点

	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 ペ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）	ルセンチス硝子体内 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	ジェノトロピン	2009年6月

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

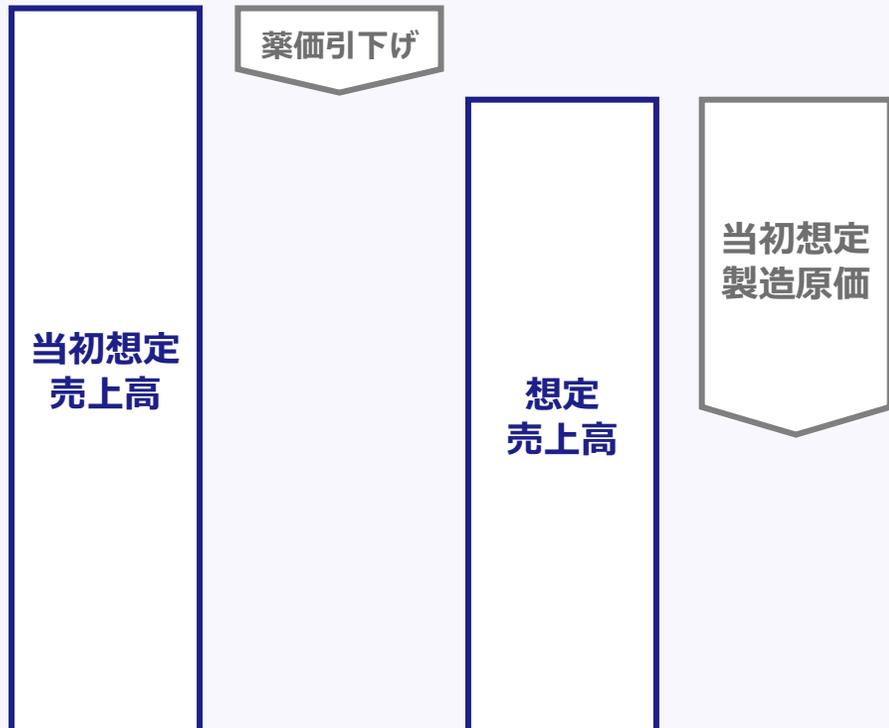


※出所 「厚生労働省 NDBオープンデータ分析サイト」を基に当社作成

原価率低減施策の推進等により、上市済みバイオシミラーの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事業基盤と収益基盤の形成に取り組む

薬価制度による収益性の低下

2021年度から薬価改定が毎年実施されている



外部環境要因による収益性の低下リスクと対応策

海外の製造受託企業においてバイオシミラー原薬を製造しているため、円安と海外での物価上昇の影響を受ける

- ・ 製造原価低減策により、数年内には収益改善を予定
- ・ 外部環境の変化による製造原価上昇を受けて、各パートナー製薬企業との供給価格交渉に取り組む



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

S-Quatre

Power of child's stem cells to fight incurable diseases

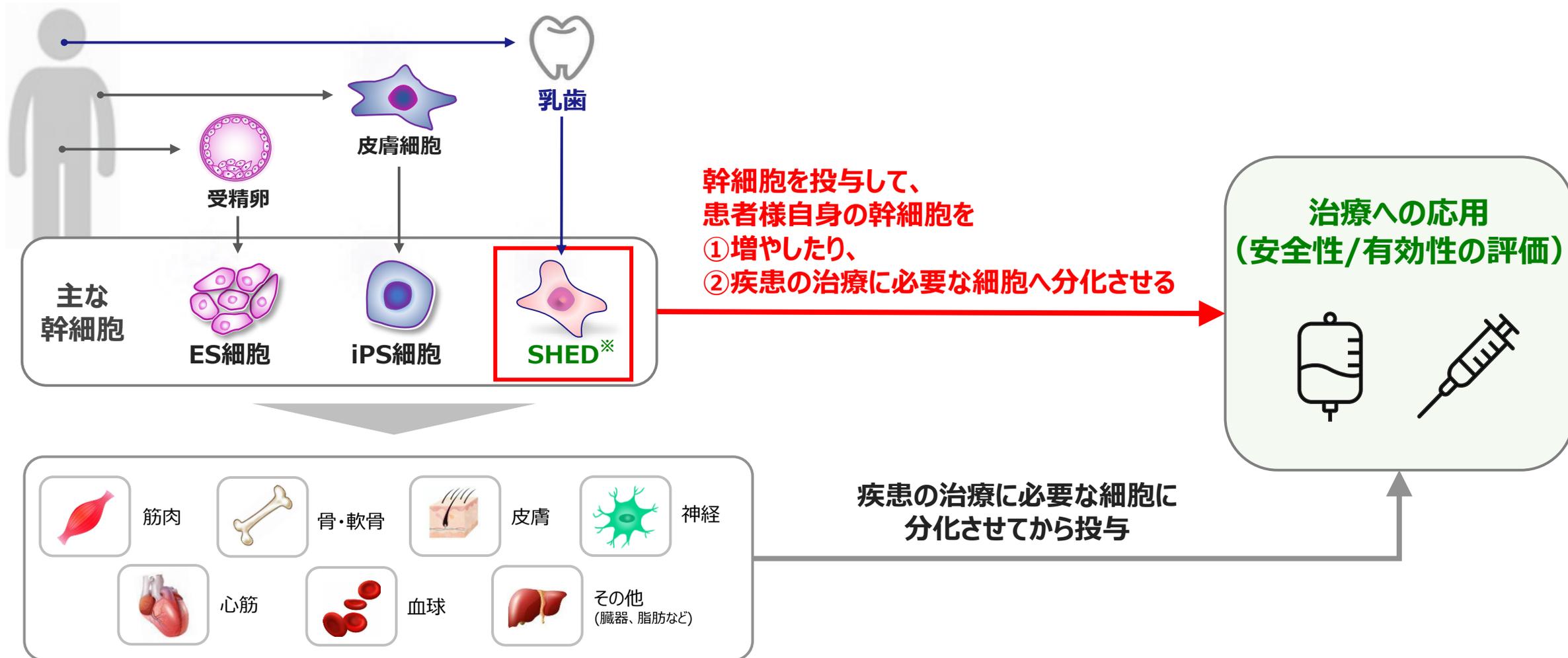
細胞治療（再生医療）事業

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)

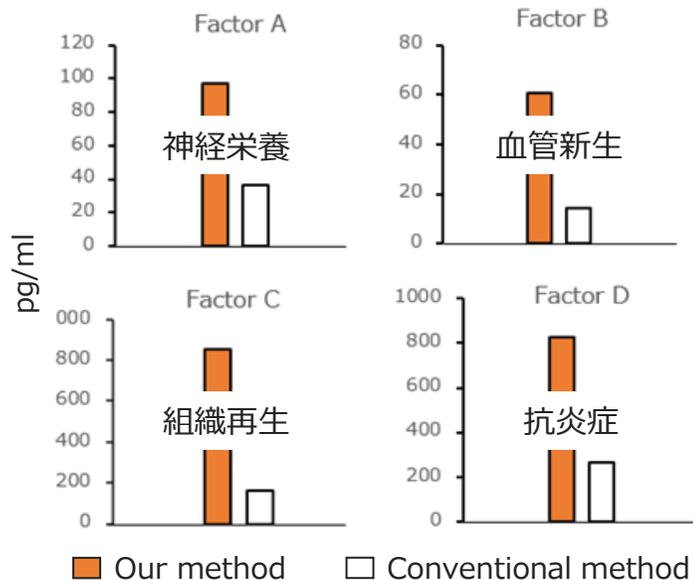
- こどもの乳歯から取れる細胞（間葉系幹細胞）
- こどもから得られる細胞のため、**増殖能力が非常に高い**
- 自然に抜ける乳歯を利用するため、**侵襲性（ドナー様の身体的負担）が非常に低い**
- こども1人から最大20本入手できるため、**安定供給が可能**
- 主に**神経再生**に重要なタンパクを豊富に産生し、患者様自身の幹細胞を、①増やす、②疾患の治療に必要な細胞（特に神経系の細胞）に分化させる



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

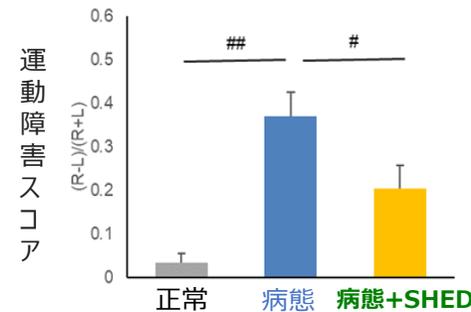
- 高度な技術とノウハウが必要とされる細胞治療薬の製造において、SHEDの安定供給体制を確立
- さらに、当社製法で製造したSQ-SHEDの優位性を確認し特許出願
- SQ-SHEDの特徴を活かした開発対象疾患の選定し、**脳性まひ**をターゲットに臨床開発が進行中

<SHEDの特許出願>



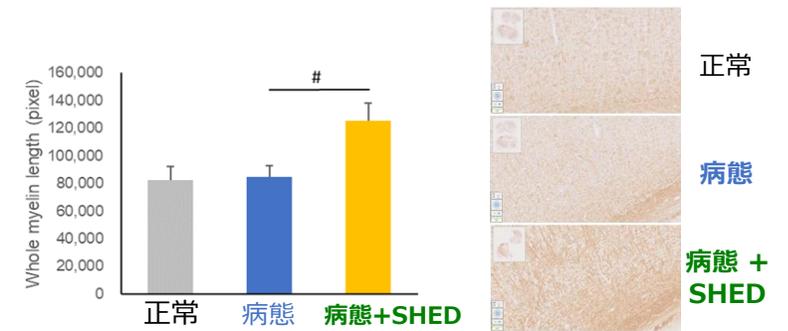
<脳性まひ動物モデルに対するSHEDの投与>

運動機能試験



SQ-SHEDの投与によって
運動機能が改善

軸索伸長



SQ-SHEDの投与によって脳（非病変側脳）の
軸索の伸長を確認

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

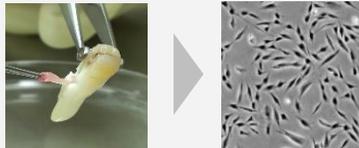
- 同意説明と同意取得
- ドナースクリーニング（診査・検査）
- 動揺乳歯の抜歯



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

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

自家製剤の製法・投与方法確立 → 再生医療等委員会承認 → 臨床研究（名古屋大学）

第一症例登録 (2023) | 全例登録完了 投与・観察進行中 (2024)

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

PMDA相談 一部完了

フェーズ1/2a (2025)

S-Quatre®の構築完了
マスターセルバンクの製造完了

予備毒性試験完了

治験薬の製法開発完了

GMP施設での試製造実施中

GMP製造

GLP毒性試験

2025年度中の治験申請を目指す

エグゼクティブサマリー

**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
カイオム社と提携し、5製品目以降の開発を目指す**

**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**

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。