2021年２月15日

各　位

会　社　名　株式会社ジーンテクノサイエンス
代表者名　代表取締役社長　谷　　匡治
（コード番号：4584　東証マザーズ）
問合せ先　執行役員 経営管理本部長　栄　　靖雄
（TEL.03-6222-9547）

５か年中期経営計画の策定並びに商号変更及び定款の一部変更に関するお知らせ

当社は、これまで成長戦略としてお伝えしてきました「GTS3.0」を発展させ、この度、さらなる企業価値向上と社会貢献を目的に「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-」を新たな企業理念とし、これに基づく2021年度（2022年３月期）～2025年度（2026年３月期）までの５か年を対象とした中期経営計画を策定いたしました。加えて上述の企業理念を国内外の皆様により認知していただくことを目的に、商号変更及び定款の一部変更について、2021年６月29日開催予定の第21回定時株主総会に付議することを決議いたしましたので、下記のとおりお知らせいたします。

記

Ⅰ．中期経営計画の概要について

当社は、2018 年度より新たな事業ステージを指す“GTS3.0「バイオで価値を創造するエンジニアリングカンパニー」”を目標に掲げ、これまでの事業活動で培ってきたバイオ技術に関するノウハウ及び知見を最大限活用し、新たな医療の開発・提供に取り組んでまいりました。

この度、当社は従来より手掛けてきましたバイオ新薬、バイオシミラー事業に加え、2018 年度より取り組みを開始しました再生医療事業を成長戦略の軸として、上述の“GTS3.0”に代わり、「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-」を新たな企業理念として打ち出すことに決定いたしました。この新たな企業理念に基づき、様々な疾患に苦しむ患者様やそのご家族、関係者の皆様に、再生医療事業及びバイオ新薬事業からは新たな治療法を、バイオシミラー事業からは安価で高品質な医薬品を一日でも早くお届けできるよう、引き続き真摯に取り組んでまいります。また、企業としての利益と企業価値向上の追求に加え、アンメットメディカルニーズの充足、そして我が国の医療費削減や治療へのアクセス向上等の ESG を始めとした社会貢献を強く意識しながら、2021 年度から５か年における当社の事業方針と具体的な戦略を取り纏めた中期経営計画を策定し、始動します。

再生医療事業においては、乳歯歯髄幹細胞（SHED）にかかる現パートナーとの取り組みと並行して、2022 年度中の臨床入りに向けた脳性まひなどを対象とした研究開発活動を推進します。また、同事業において、子会社の株式会社日本再生医療が開発を進めている小児心臓内幹細胞（CSC：開発番号：JRM-001）については、着実な治験推進及び上市後の安定供給体制の確立に向けたパートナリング活動に注力してまいります。

再生医療事業と共に今後の当社の成長を牽引するバイオ新薬事業においては、悪性リンパ腫などを対象としたFirst-in-Class抗体医薬品の研究を推進し、本中期経営計画期間中のパートナリングを目指します。

一方で、引き続き当社の安定経営を支える屋台骨であるバイオシミラー事業においては、早期黒字化と堅牢な財務基盤の構築に向けて、更なるパイプラインの上市と、利益最大化のための製造コスト低減施策を着実に推進してまいります。

販管費については徹底的な効率化に向けた取り組みを継続する一方で、本中期経営計画を超えた更なる成長につながる研究開発投資は維持いたします。

上述の取り組みの結果として、2022年度に営業利益黒字化、2025年度には売上高30億円、営業利益10億円の達成を目標といたします。

詳細につきましては、別紙資料をご覧ください。

Ⅱ．商号の変更について

１．新商号

キッズウェル・バイオ株式会社（英文：Kidswell Bio Corporation）

２．変更の理由

当社は、バイオ新薬の研究開発を手掛ける北海道大学発バイオベンチャーとして創業し、2021年３月１日に創業20周年を迎えます。バイオ新薬事業で培った技術・経験・ノウハウをバイオシミラー事業に応用することで堅実な財務基盤の構築を進めつつ、再生医療事業にも進出することで、バイオベンチャーとしての高い成長性の確保に取り組んでまいりました。

この度、「Ⅰ．中期経営計画の概要について」に記載のとおり、「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-」を新たな企業理念として打ち出しました。具体的には、バイオ技術を基盤とし、①バイオシミラーによる医療費削減でより多くの医療財源でこどもを支える、そして、②SHED及びCSCの特性・強みを活かした再生医療、革新的なバイオ新薬、既存治療へのアクセス向上を可能とするバイオシミラー、これらを通じてより多くの大人がこどもを支えることのできる世界の実現を目指します。

大人が「こどもの力になる」こと、そして「こどもが力になれる」ことで、より多くのこどもが健やかに成長し、こどもも大人も皆で幸せになる世界の実現に向けてバイオ技術で貢献する企業であることを皆様に認知いただくために、キッズウェル・バイオ株式会社に商号を変更するものであります。

３．変更予定日

2021年７月１日

（注）本商号変更は、2021年６月29日開催予定の第21回定時株主総会において、定款の一部変更が承認されることが条件となります。

Ⅲ．定款の一部変更について

１．変更理由

上記「Ⅱ．商号の変更について」に記載の商号変更を行うべく、現行定款第１条（商号）を変更するものです。

２．定款変更の内容

変更の内容は以下のとおりであります。

（下線は変更部分を示します。）

現行定款	変更案
第１章　総　則 （商号） 第１条　当会社は、株式会社ジーンテクノサイエンスと称し、英文では、Gene Techno Science Co.,Ltd.と表示する。 （新　設）	第１章　総　則 （商号） 第１条　当会社は、キッズウェル・バイオ株式会社と称し、英文では、Kidswell Bio Corporationと表示する。 附　則 （商号変更の時期） 第１条（商号）の変更は、2021 年７月１日に効力を発生し、その効力発生日をもって本附則は削除する。

３．日程

定款変更のための定時株主総会　　　2021年６月29日（予定）

定款変更の効力発生日　　　2021年７月１日（予定）

以　上

2021年～2025年度
5か年中期経営計画

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

2021年2月15日

株式会社ジーンテクノサイエンス

GENE TECHNO SCIENCE

目次

1 ビジョン

2 中期経営計画概要

3 中期研究開発計画概要

4 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

5 社名変更に関するお知らせ

1．ビジョン

- GTSのビジョン
- 基本戦略
- GTSが目指す姿
- 「こども」にフォーカスした２つの好循環
- ESG及びSDGs（持続可能な開発目標）への取り組み

GENE TECHNO SCIENCE

GTSのビジョン

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

企業理念／存在意義

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－

ミッション／使命

病気に苦しむ患者様、特に病気のこどもたちに、
早期に新たな治療薬・治療法を提供し、
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

バリュー／行動規範

「品質を通して、患者様の安全を最優先する」
「常に患者様を想い、誠実に行動する」
「革新性と多様性を活かし、あらゆるステークホルダーの価値向上に努める」

基本戦略

３つの事業領域において、優良なバイオ技術を1つ1つつなぎ合わせ、
革新的な製品やサービスを生み出し、日本のみならず広く世界に届ける

ハイブリッド & バーチャル
事業体制

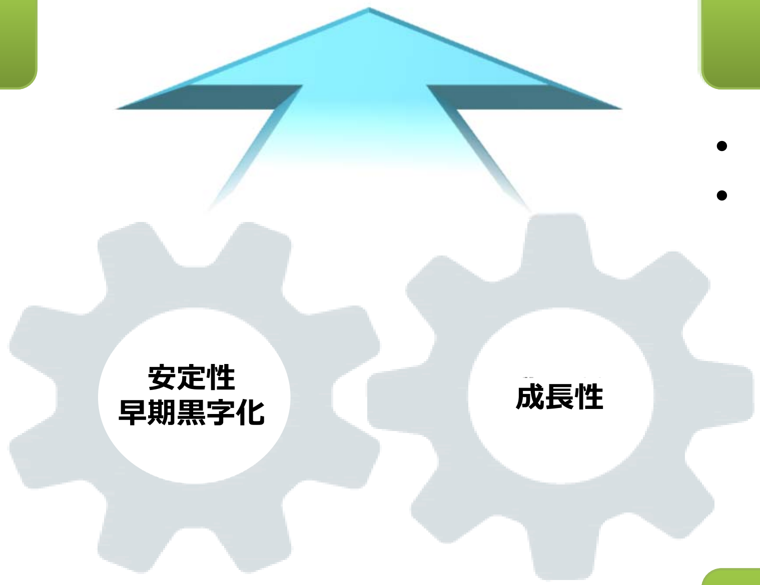
バイオシミラー事業

- 原薬の開発と供給

再生医療事業

- 乳歯歯髄幹細胞※の研究開発
- 小児心臓内幹細胞※※の研究開発

事業安定化と
早期黒字化を実現



高い成長性を実現

バイオ新薬事業

- 抗体医薬を中心とした研究開発

※　SHED　(Stem cells from Human Exfoliated Deciduous teeth)
※※ CSC　(Cardiac Stem Cells)

GTSが目指す姿

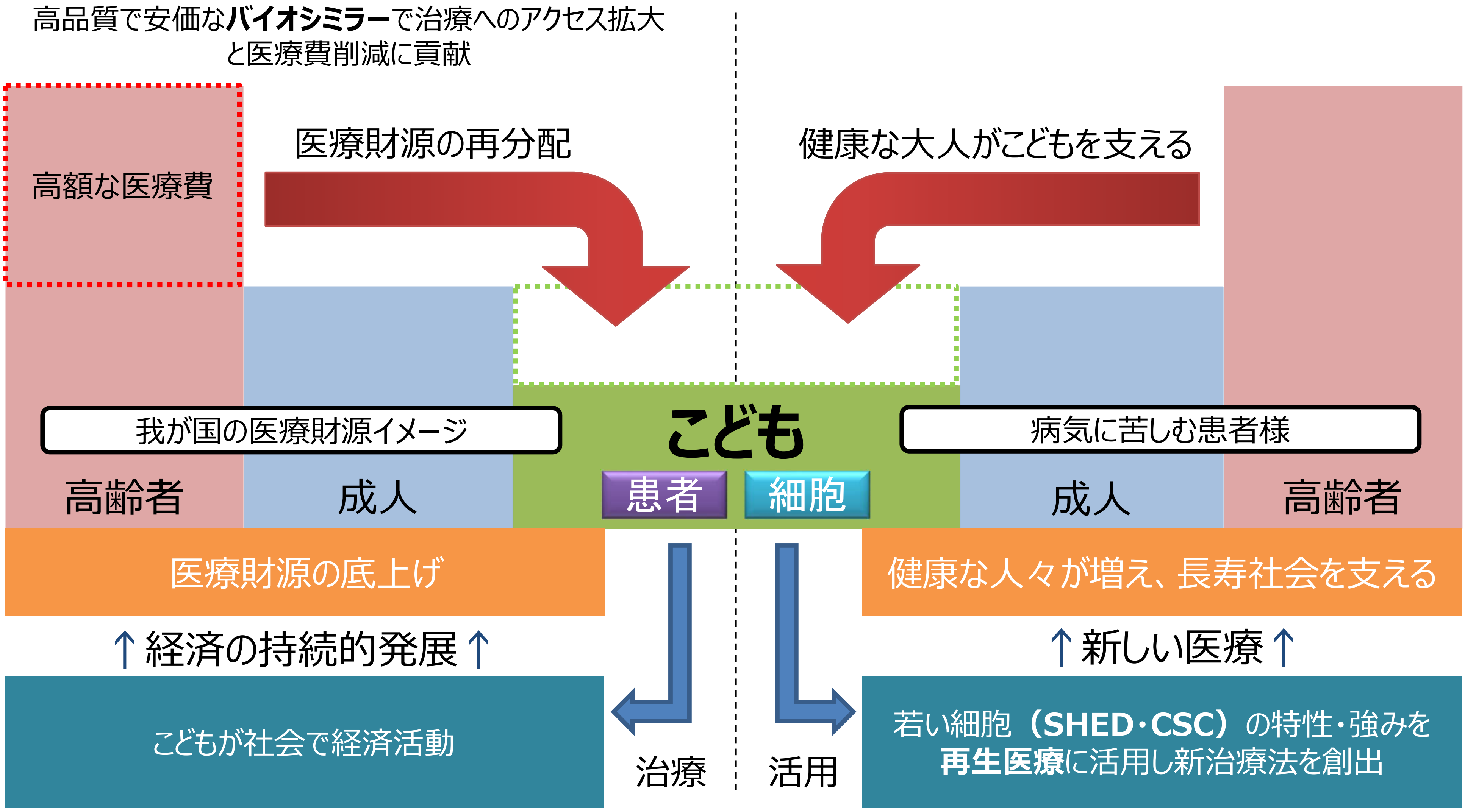
ビジョンを実現したGTSの姿

必要とされる治療薬・治療法の提供を実現しながら、
こどもたち、家族、地域社会の人々の健康を維持し、
<u>企業として健全な成長を続け、</u>
<u>持続可能な社会保障体制の維持に貢献</u>

高い利益率を実現 × **ESG社会貢献**

「こども」にフォーカスした２つの好循環

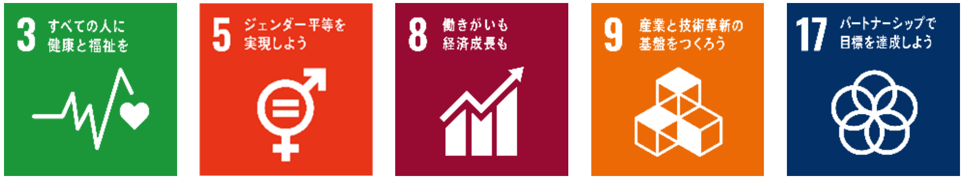
こどもの力になること、こどもが力になれること



GENE TECHNO SCIENCE

ESG及びSDGs（持続可能な開発目標）への取り組み

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



2．中期経営計画概要

- 中期経営計画 エグゼクティブ サマリー
- 中期経営計画 ロードマップ
- 新規導出候補の疾患

中期経営計画 エグゼクティブ サマリー

当社は、3月期決算会社です。

① 数値目標

◆ **2022年度　営業利益の黒字化**
◆ **2025年度　売上30億円　営業利益10億円の達成**

② 成長戦略：2025年度まで

導出候補品の拡充と持続拡大的な利益創出を可能とする事業基盤を確立する

再生医療（SHED）	• 現パートナーとの取り組みを深化 • 脳性まひ、脊髄損傷、難治性骨折などでの研究推進＆パートナリング	継続 2025年度
再生医療（CSC）	• JRM-001上市後の安定供給に向けたパートナーとの協業開始	2022年度
バイオ新薬	• 悪性リンパ腫、血管炎、肺高血圧症などでの研究推進＆パートナリング	2025年度
バイオシミラー	• GBS-001、GBS-007、GBS-011の利益拡大、4製品目の上市	継続
その他コスト	• 販管費の徹底的な効率化と、更なる成長のための研究開発投資	継続

③ 成長戦略：2026年度以降

さらなる利益の上積みを狙いつつ、ビジョン実現に向けての足場を固める

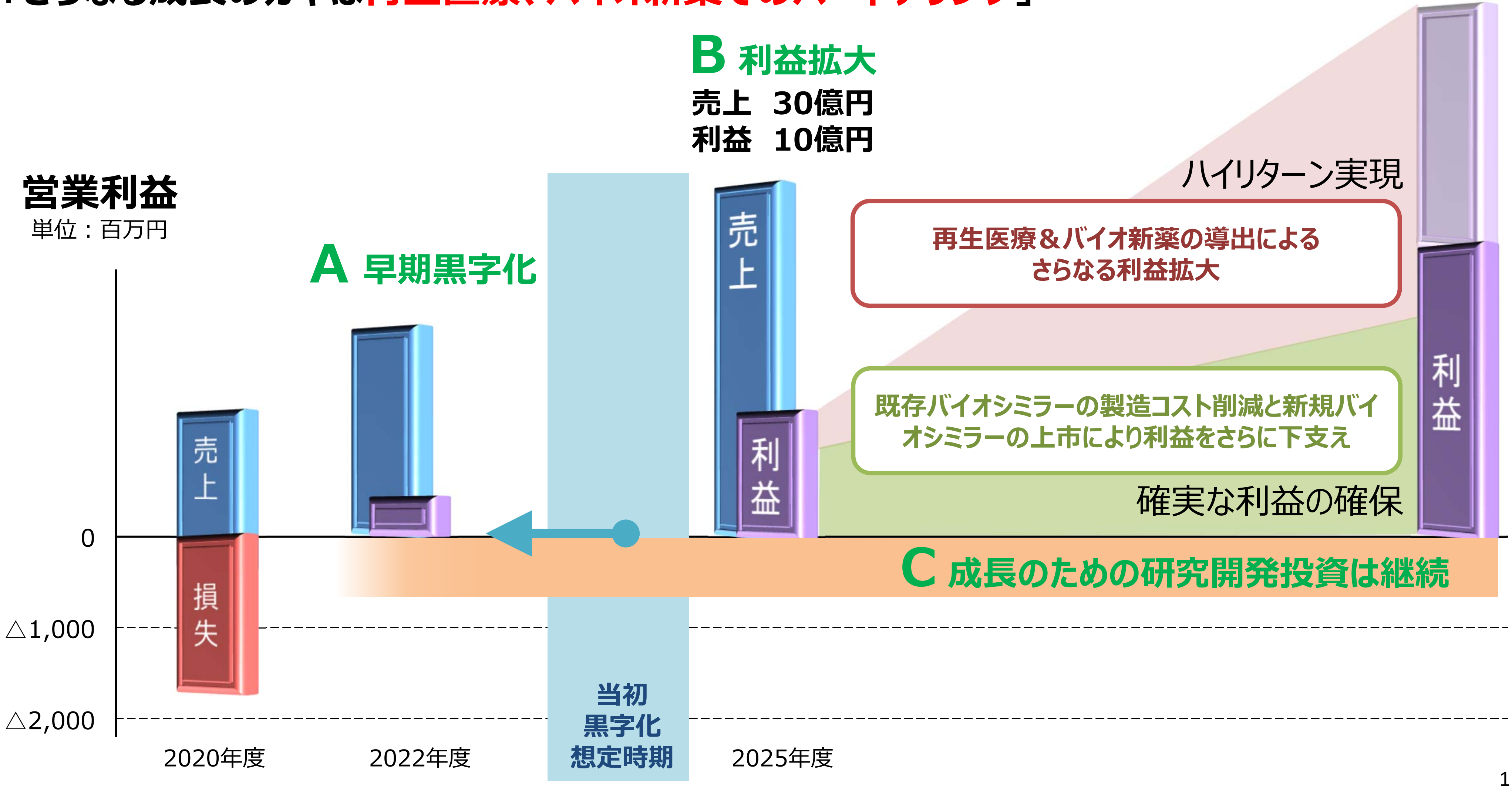
再生医療（SHED）	• 既存パイプラインを含む3製品の上市 • 治療効果を強化した次世代型デザイナー細胞医療への取り組み	2030年度 継続
再生医療（CSC）	• 拡張型心筋症などの他の心疾患へ適応拡大	継続
バイオ新薬	• 新規開発品の上市	2030年代前半
バイオシミラー	• 高産生細胞株技術を活用した新規バイオシミラーの開発＆パートナリング • 2030年以降の利益に繋がる新規バイオシミラーの開発	継続 継続

（注）各戦略の詳細は、13p「中期研究開発計画概要」以降に掲載しております。

中期経営計画 ロードマップ

A)　2022年度に黒字化達成
B)　2025年度に売上30億円、営業利益10億円、それ以降の利益の飛躍的拡大
C)　成長のための研究開発投資は継続

「さらなる成長のカギは再生医療、バイオ新薬でのパートナリング」



パートナリングを目指す早期新薬パイプライン

GENE TECHNO SCIENCE

脳性まひ
小児

治療法：未確立
患者数：3万人（2,000児/年）
目　標：姿勢の維持、手足運動能力の向上

脊髄損傷
小児含む

治療法：未確立
患者数：10万人（5,000件/年）
目　標：知覚の回復、歩行能力の向上

難治性骨折

治療法：外科手術
患者数：10万件/年
目　標：手術の回避、慢性痛からの解放

再生医療（SHED）

市場性(製品あたり)
国内　～数百億円
海外　～数千億円

バイオ新薬

悪性リンパ腫
小児含む

治療法：化学療法、CAR-T療法
患者数：3万人/年
新規性：患者の免疫力に依存しない細胞死の誘導

血管炎
小児含む

治療法：免疫抑制剤、血管拡張薬
患者数：4万人
新規性：既存薬では効果のない血管壁での過剰炎症の抑制

肺高血圧症
小児含む

治療法：血管拡張剤
患者数：25万人
新規性：既存薬では効果のない患者への治療効果

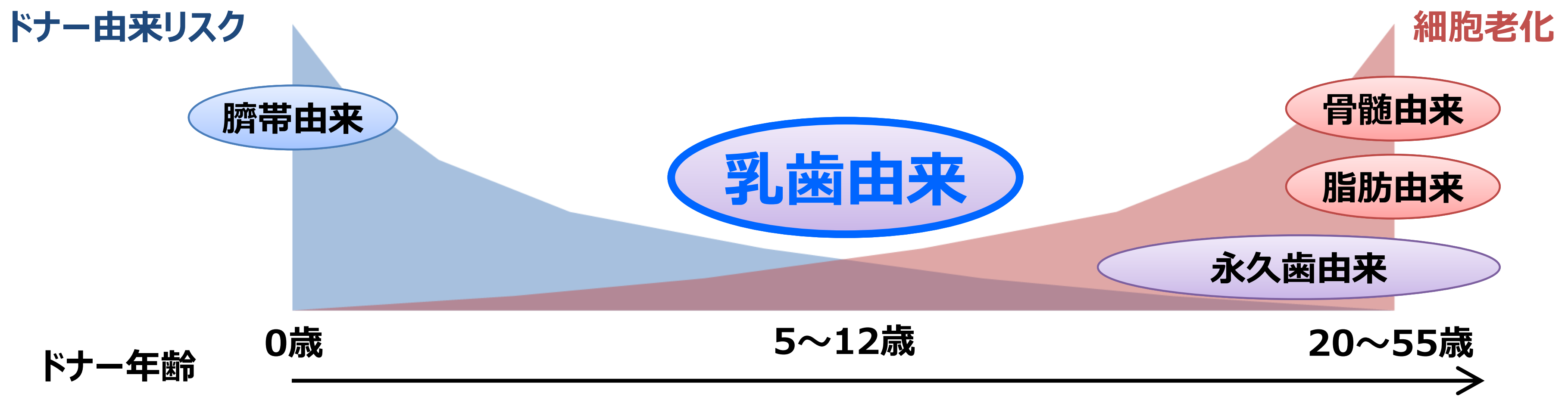
3．中期研究開発計画概要

- 再生医療事業　– SHED –
- 再生医療事業　– CSC –
- バイオ新薬事業
- バイオシミラー事業

再生医療事業（SHED）：研究開発計画概要

再生能力と安全性から再生医療に最適な乳歯歯髄幹細胞（SHED）を活かし、小児の先天性疾患のみならず、小児由来の活性の高い幹細胞で高齢者の疾患にも適応可能な再生医療等製品の開発を目指す。

- **第一世代**　**2030年度までに３製品の上市を目標とする**
- **第二世代**　**治療効果、疾患部位指向性等を強化した次世代型デザイナー細胞医療に取り組む**



GENE TECHNO SCIENCE

再生医療事業（SHED）：第一世代細胞治療

2030年度に向けた成長を牽引するSHEDプロジェクト

（目標）

第一世代細胞治療 → 2022年度までに臨床試験の開始 → 2030年度までに３製品の上市

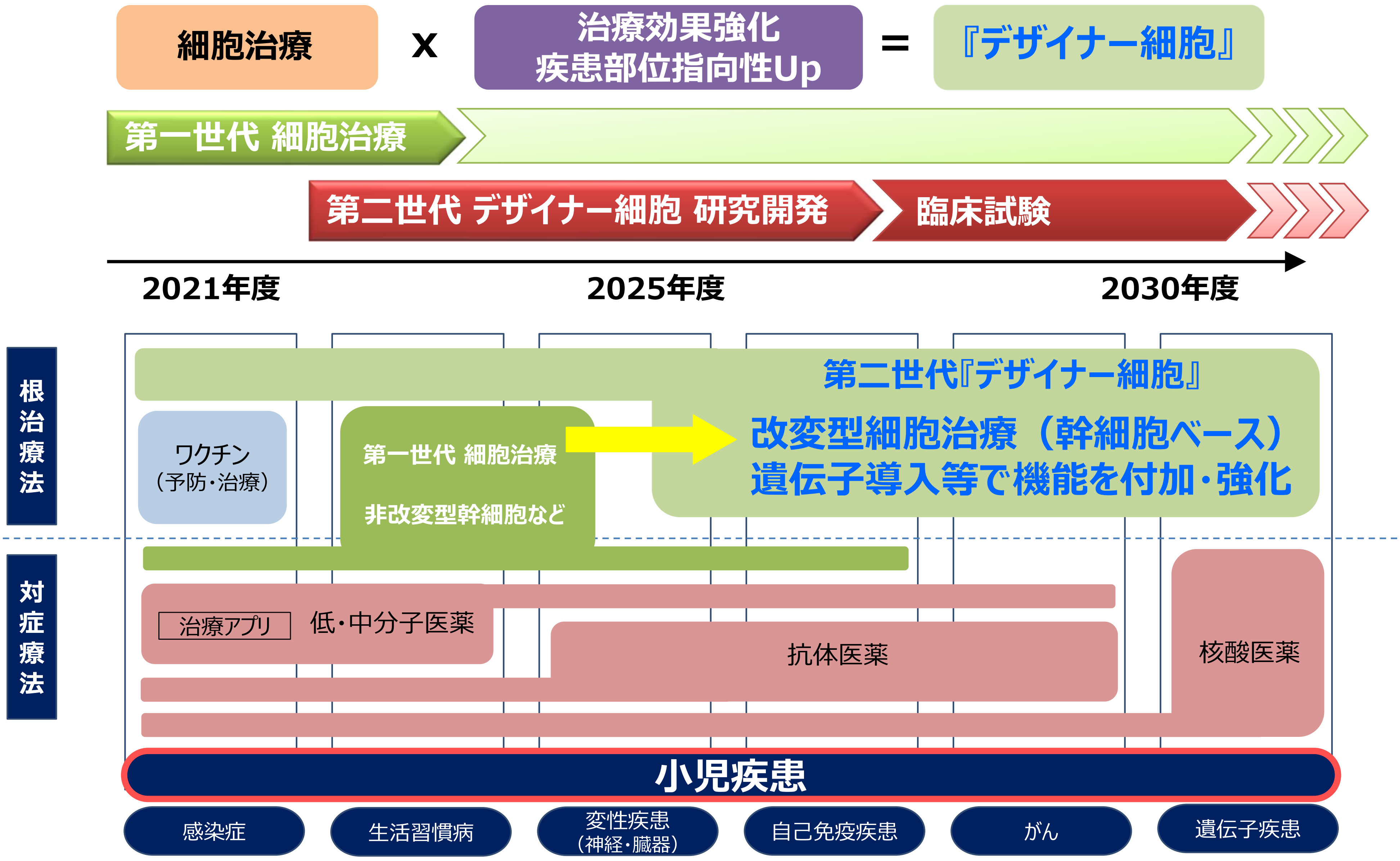
2021年度 → 2025年度 → 2030年度

	対象疾患	症状	既存治療法	期待効果	既存連携先	国内患者数	世界患者数
小児	口唇口蓋裂	摂食、言語障害	口唇形成術＋腸骨移植	顎骨再生	ORTHOREBIRTH	2,000人/年	新生児1万人中15人
小児	腸管神経節細胞僅少症	腸閉塞	腸管切除、人工肛門造設	神経節再生	持田製薬	100人	–
小児	脳性まひ	四肢麻痺姿勢障害	未確立	神経保護・賦活・再生	東京都医学総合研究所、名古屋大学、東京医科歯科大学	2,000人/年 累計3万人	10万人/年 累計170万人
小児含む	脊髄損傷	運動・感覚機能損失	未確立	神経保護・賦活・再生	名古屋大学	5,000人/年 累計10万人	2.5万件/年 累計50万人(三極)
	難治性骨折	慢性痛、歩行障害	外科手術	骨再生	北海道大学総合せき損センター	10万人/年	–
	末梢神経麻痺	運動・感覚機能障害	神経再建術(自家神経移植)	末梢神経再生	大分大学	8,000手術/年	–
	骨関連	※	※	※	昭和大学	※	※
	眼関連	※	※	※	岐阜薬科大学	※	※

※詳細非開示

再生医療事業（SHED）：第二世代細胞治療

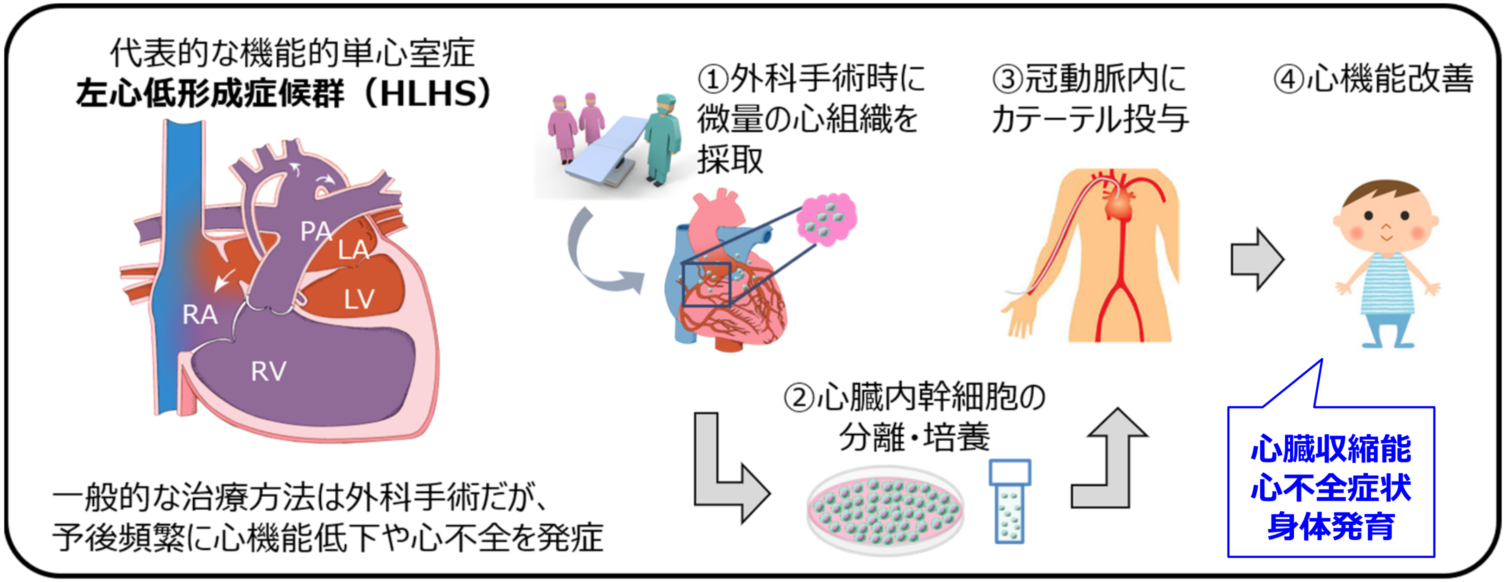
第二世代：高い治療目標を達成するために強化型細胞治療「デザイナー細胞」で医療の未来を切り開く



戦略プロポーザル『デザイナー細胞（国立研究開発法人科学技術振興機構）を参考に当社で作図

再生医療事業（CSC）：JRM-001の上市

心臓内幹細胞（CSC）を用いた再生医療等製品 JRM-001の着実な開発と上市



【市場概況】

発症数は国内推定で年間~500名程度

代替治療法の費用は約1,800万円／人

- 現在推進中の**機能性単心室症に苦しむお子さんを対象とした第三相臨床試験を早期に完了させる。**

  2022年度までに、パートナー（製薬企業）との協業開始
  2024年度までに、JRM-001の製造販売承認を達成

- パートナリングを通じて**拡張型心筋症などの他の心疾患への適応拡大**、および他家展開、海外展開を図る。

バイオ新薬事業：研究開発計画概要

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。

（目標）

First-in-Class 抗体医薬品	2025年度までに 提携先への導出・共同開発開始	2030年代前半で 上市
	2021年度 → 2025年度	2030年度

●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

バイオ新薬事業：新規開発品（1）

（１）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）がガン化する血液がん。小児がんの約10%を占める。

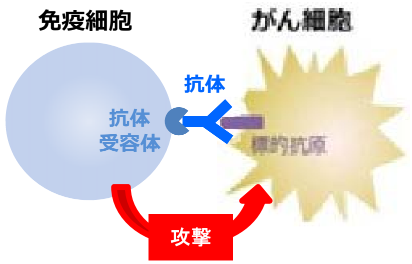
【現在の治療法の課題】
✓悪性度の高いリンパ腫に対する根治療法は少なく、死亡率も高い
✓B細胞リンパ腫の一部に対してCAR-T細胞療法が開発されたが、副作用が強い。また、治療費が高額（薬価 3,349万円）で、医療財政を圧迫している。

【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。

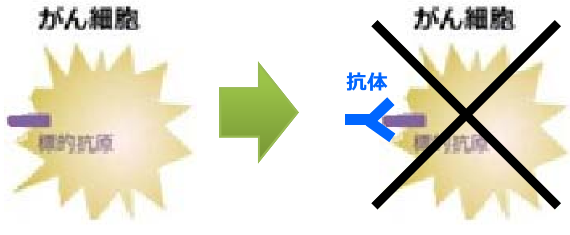
化学療法等含めた医薬品の悪性リンパ腫国内市場は2021年時点で約800億円。

【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。

[これまで]



[これから]



直接的ながん細胞死を誘導

バイオ新薬事業：新規開発品 (2)

（２）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】

過剰な血管炎の原因を解明する研究を推進中で、**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

バイオ新薬事業：新規開発品 (3)

（３）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】

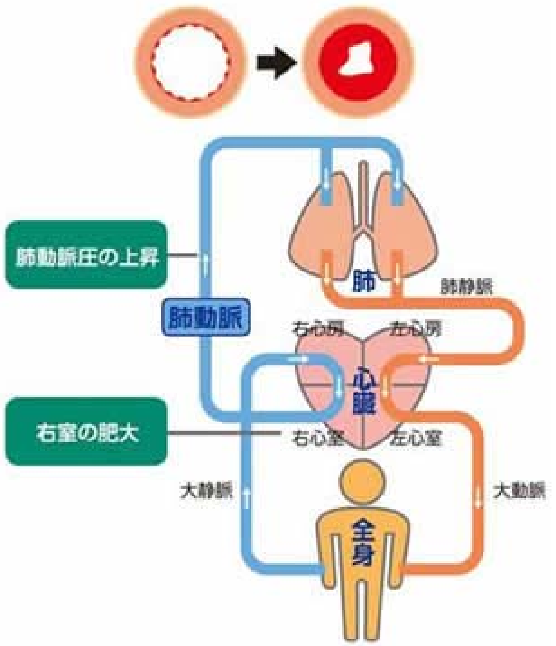
- ✓血管拡張薬による治療法があるが、病態の進行した患者様には治療効果が限定的である。
- ✓患者数の多い左心機能不全や慢性閉塞性肺疾患に合併する肺高血圧症には効果が確認されていない。

【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作製中**。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

GENE TECHNO SCIENCE

バイオシミラー事業：開発計画概要

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)開発に挑む

（目標）

高品質&安価バイオシミラー	2025年度までに 4製品の上市(既上市品含む)	2030年度以降の利益に繋がる バイオシミラーの開発
	2021年度	2025年度 → 2030年度

【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)

【バイオシミラーの上市実績】

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**。

- **GBS-001　フィルグラスチムBS（2013年度上市）**
- **GBS-011　ダルベポエチンαBS（2019年度上市）**
- **GBS-007　ラニビズマブBS（2020年度承認申請）**
- **4製品目の上市（2025年度までに）**

【新たなパイプライン】

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。

《開発候補品》

ニボルマブBS（オプジーボ）、ペムブロリズマブBS（キイトルーダ）、ラブリズマブBS（ユルトミリス）
ブロルシズマブBS（ベオビュ）、ウステキヌマブBS（ステラーラ）等

＊開発パートナーとの協議次第

4．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

5．社名変更に関するお知らせ

社名変更に関するお知らせ

Kidswell Bio Corporation

キッズウェル・バイオ株式会社

Kids＋wellness　こどもの力になること、こどもが力になれること

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－

上記を自社の理念とし、その理念に対するコミットメントを
社外の皆様に認知いただくために社名変更をいたします。

（注）本商号変更は、2021年6月29日開催予定の第21回定時株主総会において、定款の一部変更が承認されることが条件となります。

注意事項

この資料は株式会社ジーンテクノサイエンス（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。

この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。

GENE TECHNO SCIENCE

株式会社ジーンテクノサイエンス

GTS
3.0

バイオで価値を創造するエンジニアリングカンパニー