

# 事業計画及び成長可能性に関する事項

---

**2021年12月23日**

**キッズウェル・バイオ株式会社**

この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。

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。

2022年4月4日に、株式会社東京証券取引所における市場区分が「プライム市場・スタンダード市場・グロース市場」の3つの市場区分に見直されることとなりますが、当社は、新市場区分のコンセプト及び適合状況を踏まえ、「グロース市場」を選択することを2021年12月10日開催の取締役会において決議し、定められた申請スケジュールに従い、手続きを進めております。

この資料のアップデートは、毎年5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。

# 会社概要

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

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 —

会社概要	設 立	2001年3月		
	上 場	2012年11月（東証マザーズ）		
	資 本 金	1,032百万円（2021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	北海道大学内	
従 業 員 数 （ 連 結 ）	39名（2021年3月31日現在）			
経営体制	取 締 役	代表取締役社長	谷 匡治	
		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	千葉 彩	一般社団法人RAC 代表理事
	執 行 役 員	研究開発本部長	川上 雅之	
		事業開発本部長	紅林 伸也	
		経営管理本部長	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	バイオ新薬事業、バイオシミラー事業、新規バイオ事業			



## 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」

## ビジョンを実現したKWB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、  
企業として健全な成長を続け、  
持続可能な社会保障体制の維持に貢献

高い利益率を  
実現



ESG  
社会貢献



**競争優位性を生み出す  
事業体制、収益構造**

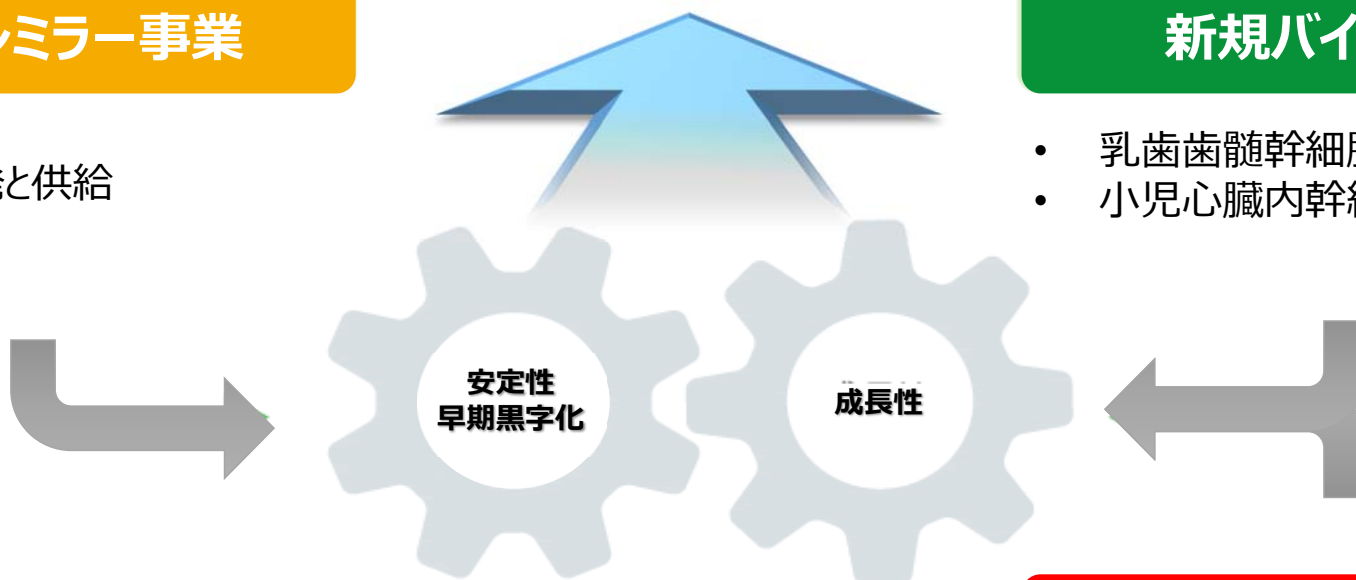
3つの事業領域において、優良なバイオ技術を1つ1つつなぎ合わせ、革新的な製品やサービスを生み出し、日本のみならず広く世界に届ける

## 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

事業安定化と  
早期黒字化を実現



### 新規バイオ事業

- 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

高い成長性を実現

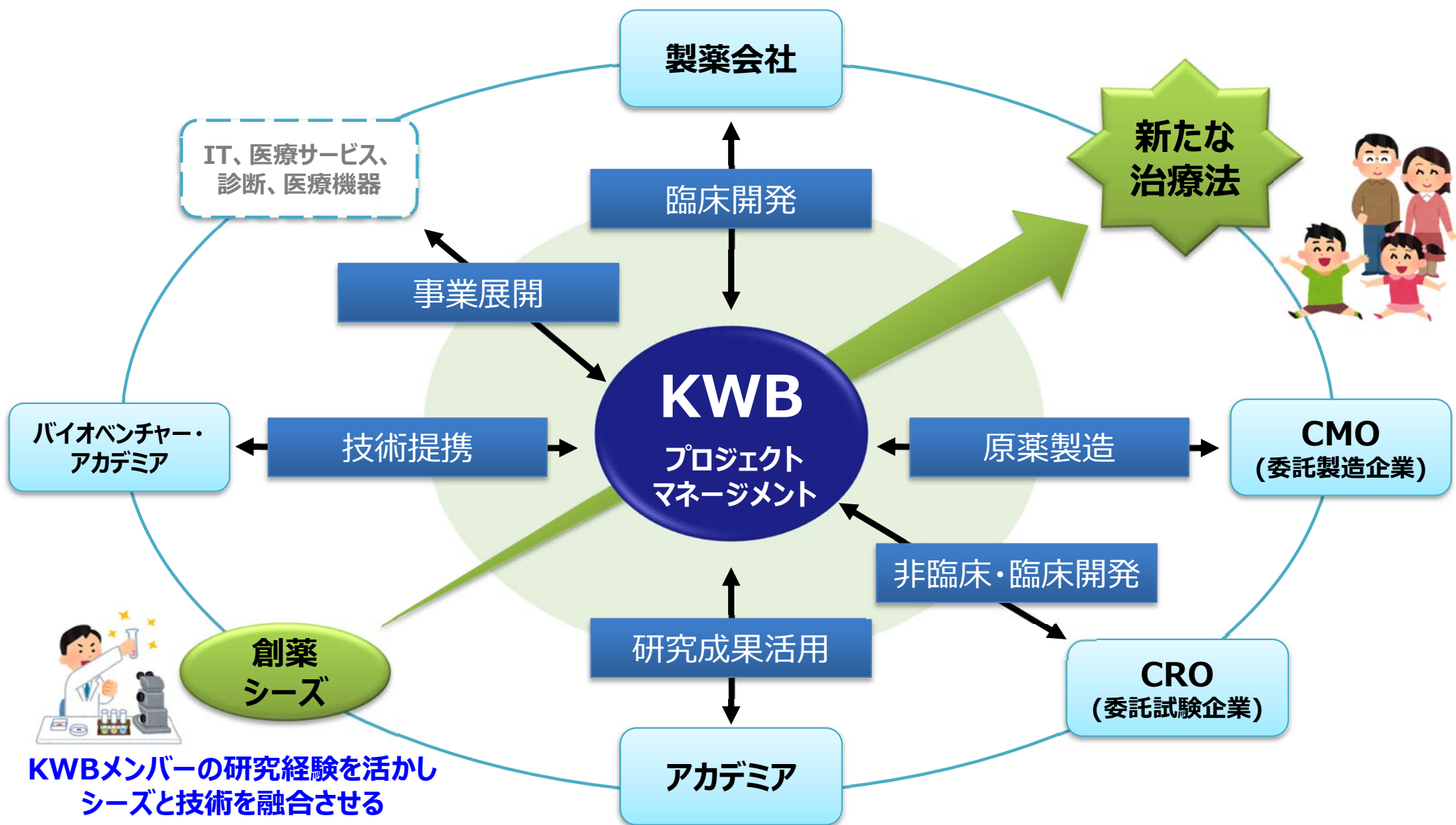
### バイオ新薬事業

- 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)

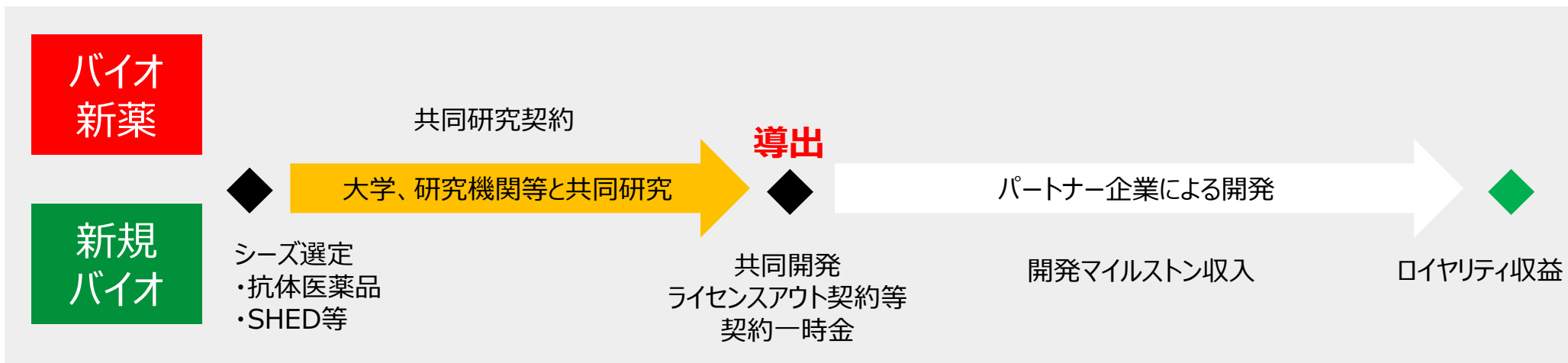


➤ これまでの事業経験から**プロジェクト毎に最適な体制を構築**し、価値の最大化を図る



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。

## 再生医療



### 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

岐阜薬科大学  
眼関連

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

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



### 小児心臓 内幹細胞

JRM-001

左心低形成症候群/  
機能的単心室症  
(Phase III)

### 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

J-TEC

## 抗体医薬品

### 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

### 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

# 2023年3月期 黒字化に向けて

## 21年3月期実績及び22年3月期予想

新規BS製品の売上等を見込む

単位：千円

科目	2021年3月期 実績	2022年3月期		2023年3月期
		業績予想	来期の業績予想を固めていく際にベースとなる数字	
売上高	996,543	1,900,000	1,350,000	<div style="background-color: #28a745; color: white; padding: 10px; text-align: center;">                     バイオシミラー3製品売上                      開発マイルストーンによる収入                      (+ 導出時の収入他)                 </div>
売上原価	119,571	1,020,000	350,000	
売上総利益	876,971	880,000	1,000,000	<div style="background-color: #dc3545; color: white; padding: 10px; text-align: center;">                     粗利は10億円を                      下回らない                 </div>
販売費及び 一般管理費	1,846,659	2,600,000	1,520,000	<div style="background-color: #17a2b8; color: white; padding: 10px; text-align: center;">                     今期はBSの                      粗利のみ                 </div>
その他販管費	882,791	800,000	800,000	
研究開発費	963,868	1,800,000	720,000	<div style="background-color: #fd7e14; color: white; padding: 10px; text-align: center;">                     導出加速に向けて                      メリハリの利いた                      研究開発投資の実施                 </div>
営業利益	△969,687	△1,720,000	△520,000	

BS第4製品目の製造プロセス確立、  
 マスターセルバンク (MCB) 完成に係る  
 一時的な売上は除外

BS第4製品目の製造プロセス確立、  
 マスターセルバンク (MCB) 完成に係る  
 一時的な原価は除外

**KWB史上初の10億円**

GBS-007の商用に関する開発費用は  
 今期最終と見込むため除外  
 JRM-001関連費用は除外※

**黒字化**

※JRM-001は、来期以降パートナーリングを前提にコストへのインパクトはなくなることから分析値からは除外しています。

# 今後の収益及び投資・費用計画

2022年3月期  
分析値

増減イメージ

2023年3月期以降  
計画イメージ

売上高

13.5億円

GBS-007 売上増  
BS第4製品目の上市

13.5億円以上

BS、開発マイルストーン等で確実な売上増  
+ 導出時の収入でさらなるアップサイド

売上総利益

10億円  
BSのみ

同上

10億円以上

研究開発費

7億円

✓ 製造コストのさらなる低減  
✓ 導出確率を高めるための  
効率的な研究開発投資

5~8億円

GBS-007製造開発費はピークアウト  
JRM-001は提携に基づく開発費負担減  
2025年度の数値目標達成のためには  
5億円の研究開発投資は必須

その他販管費

8億円

現状維持

7~8億円

コスト管理を徹底  
売上に連動しない実質的な固定費は6.5億円

## ■ 資金調達の状況

当社は、2019年10月16日並びに2020年4月8日に発行いたしました第三者割当による第2回及び第3回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第9回及び第10回新株予約権により、本資料開示時点において1,719百万円の資金調達を実施しております。これらの資金は、バイオ新薬及び新規バイオ事業における再生医療パイプラインの研究開発資金として充当しております。

# 市場環境概況

- 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

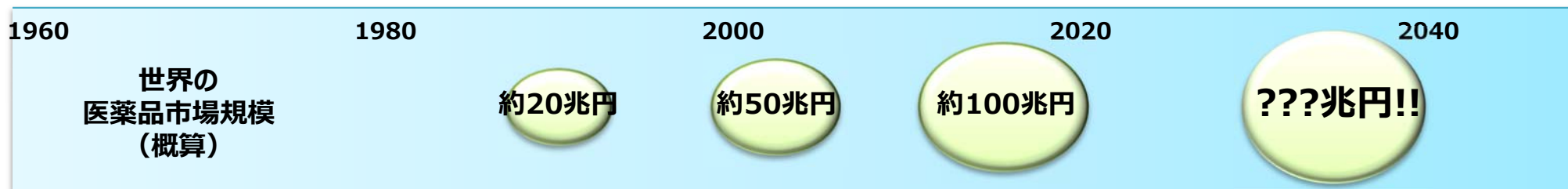
消化性潰瘍薬・生活習慣病薬

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

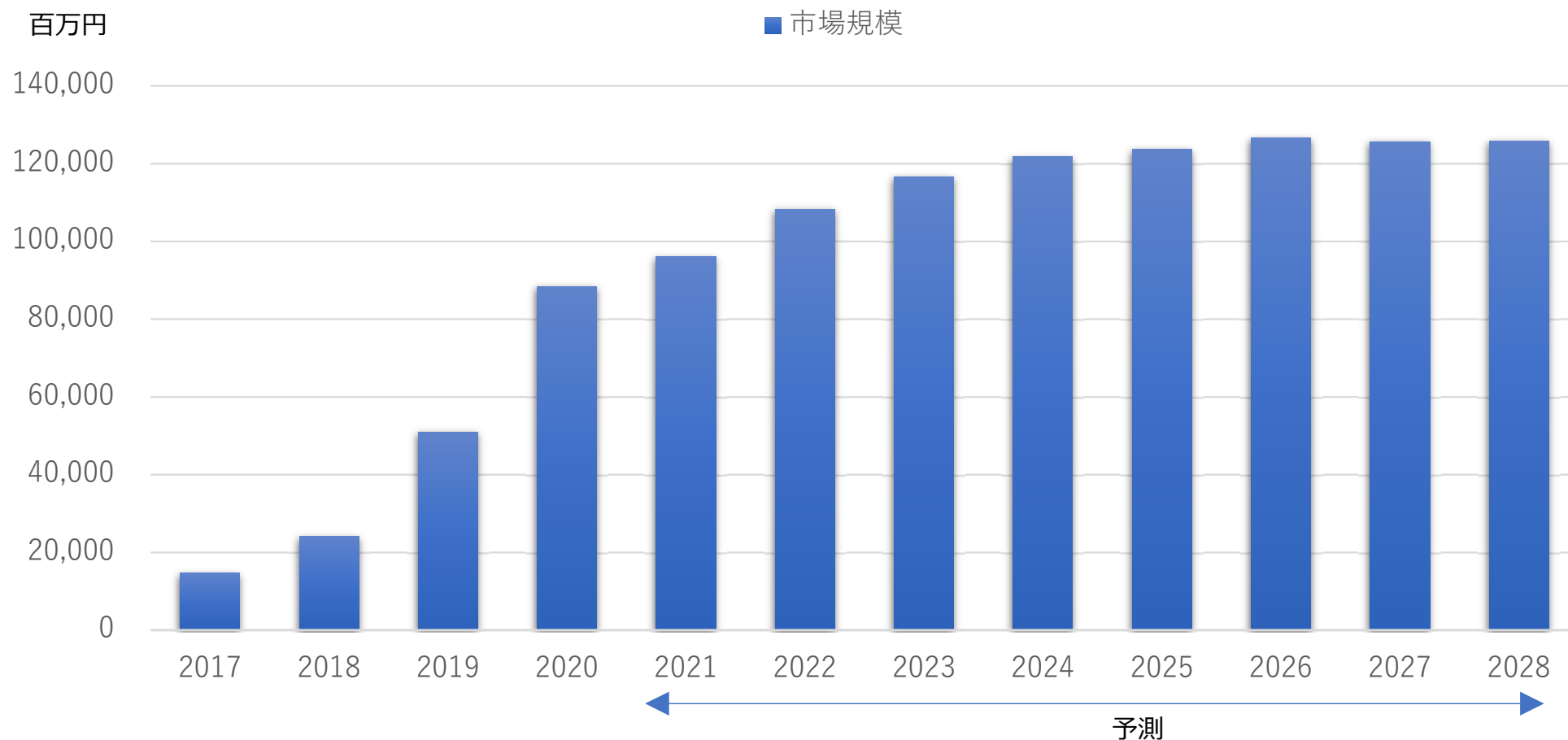


罹患者数が多数の疾患  
ブロックバスター製品



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



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は以下のとおり

開発番号	対象疾患		市場規模 2019年度		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

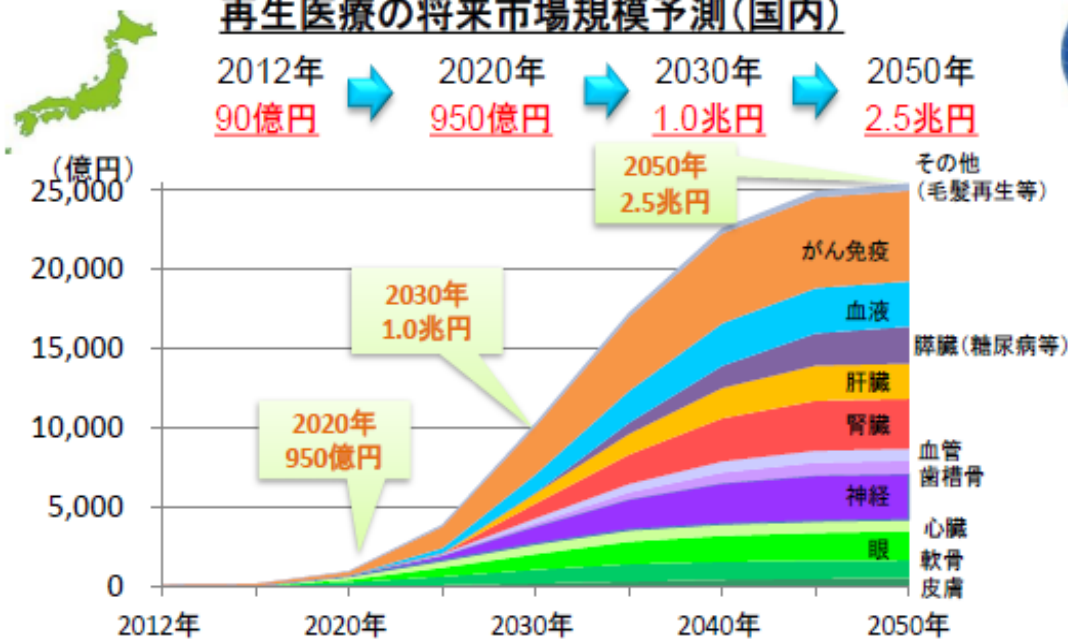
## 国内外の再生医療の将来市場規模予測



○ 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。

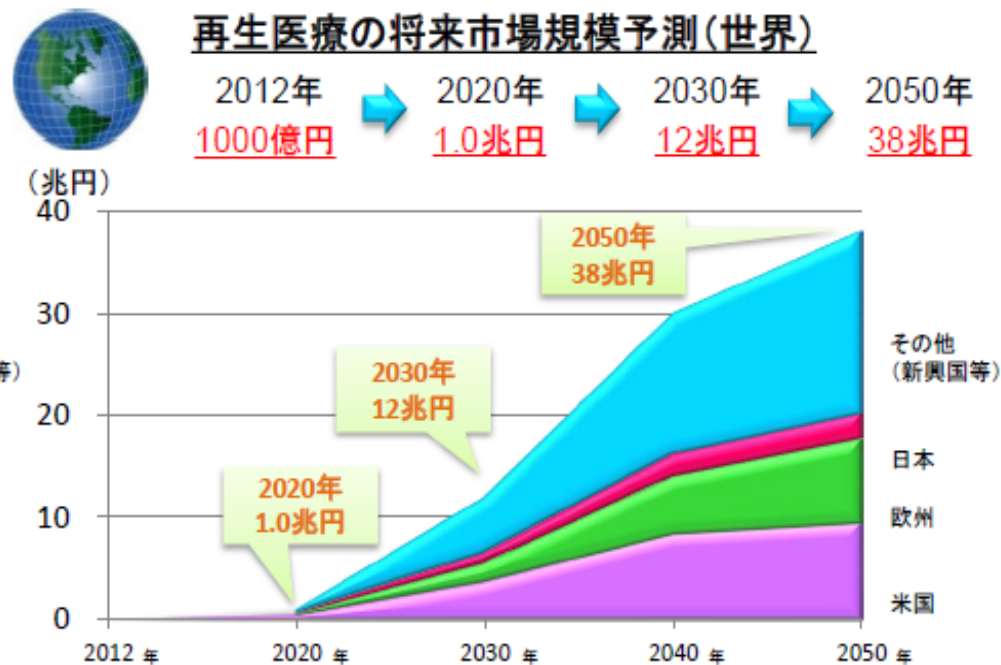
再生医療の将来市場規模予測(国内)

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

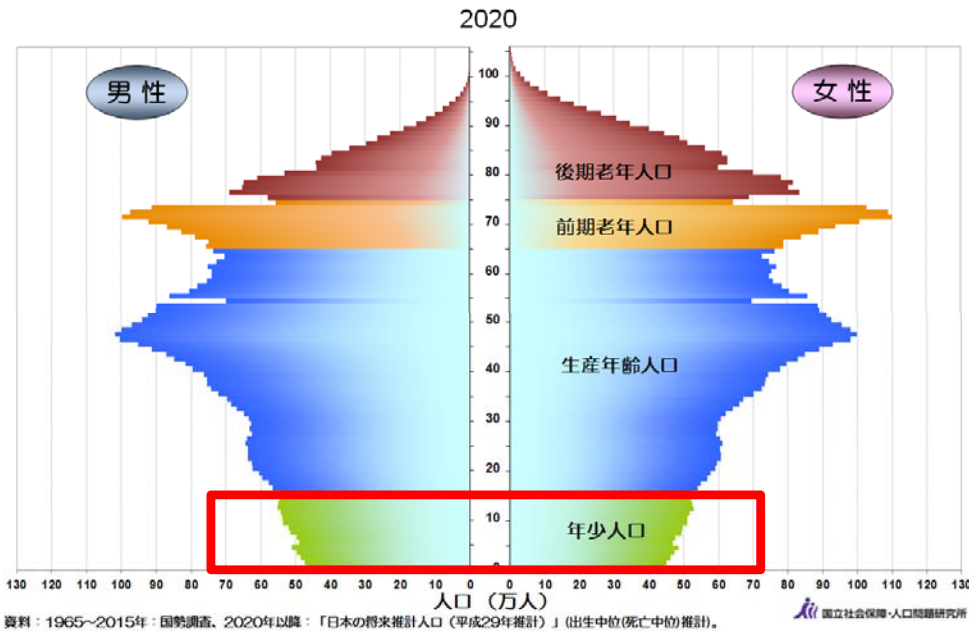


再生医療市場は、今後も継続的に拡大。

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。

## －小児・若年層の医療の充実を図る重要性－

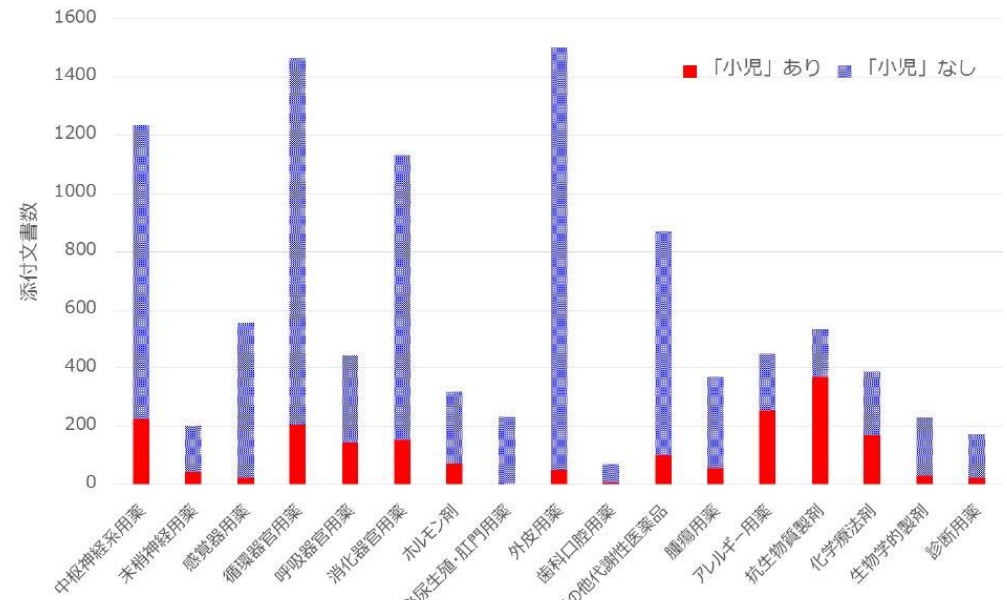
### 日本の人口ピラミッド



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。

# 成長戦略

-5か年中期経営計画-

## ① 数値目標

当社は、3月期決算会社です。

◆ **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）	<ul style="list-style-type: none"> <li>現パートナーとの取り組みを深化</li> <li>脳性まひ、脊髄損傷、難治性骨折などでの研究推進&amp;パートナーリング</li> </ul>	継続 2025年度
再生医療（CSC）	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	2022年度
バイオ新薬	<ul style="list-style-type: none"> <li>悪性リンパ腫、血管炎、肺高血圧症などでの研究推進&amp;パートナーリング</li> </ul>	2025年度
バイオシミラー	<ul style="list-style-type: none"> <li>GBS-001、GBS-007、GBS-011の利益拡大、4製品目の上市</li> </ul>	継続
その他コスト	<ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	継続

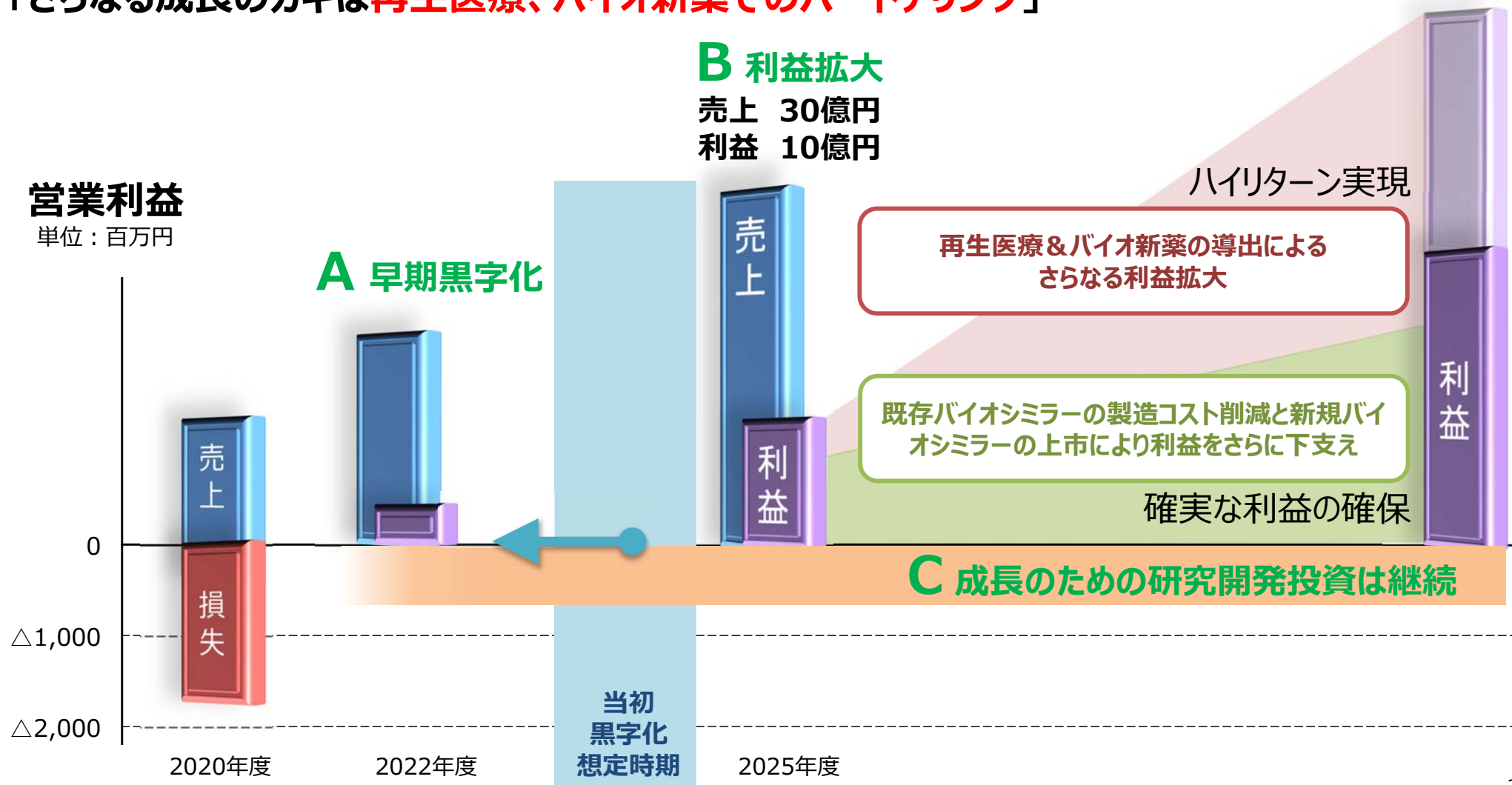
## ③ 成長戦略：2026年度以降

### 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）	<ul style="list-style-type: none"> <li>既存パイプラインを含む3製品の上市</li> <li>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</li> </ul>	2030年度 継続
再生医療（CSC）	<ul style="list-style-type: none"> <li>拡張型心筋症などの他の心疾患へ適応拡大</li> </ul>	継続
バイオ新薬	<ul style="list-style-type: none"> <li>新規開発品の上市</li> </ul>	2030年代前半
バイオシミラー	<ul style="list-style-type: none"> <li>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&amp;パートナーリング</li> <li>2030年以降の利益に繋がる新規バイオシミラーの開発</li> </ul>	継続 継続

- 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ーリング」



## 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

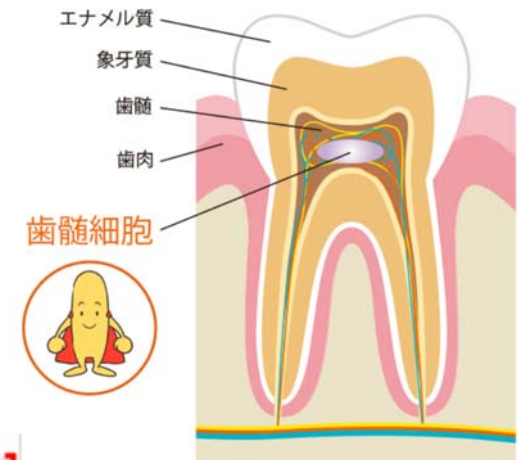
小児含む

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

- 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(SHED)から採取された幹細胞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**



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





幹細胞は様々な組織へ分化出来る多分化能を有するが、歯髄幹細胞は発生学的に神経堤由来(neural crest cell)の幹細胞で、以下の特徴を持つ

骨髄由来  
幹細胞より

**増殖能力が高い**

\*1

▶ 短期間で必要十分な細胞を確保

**骨再生能力が高い**

\*2

▶ 骨再生が必要な疾患に最適  
例：難治性骨折  
突発性大腿骨頭壊死症など

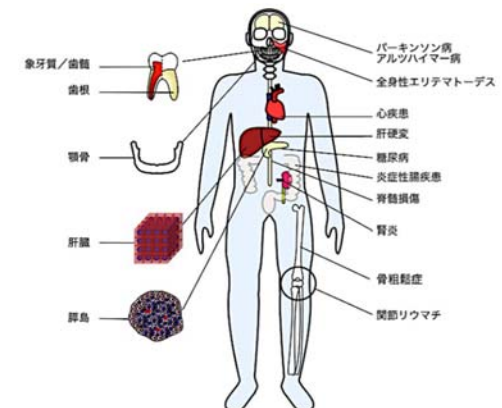
**神経系の成長因子の分泌量が多い**

\*3

▶ 神経再生が治療に関わる疾患に最適  
例：アルツハイマー病、パーキンソン病  
ALS、緑内障、黄斑変性など

\*参考文献

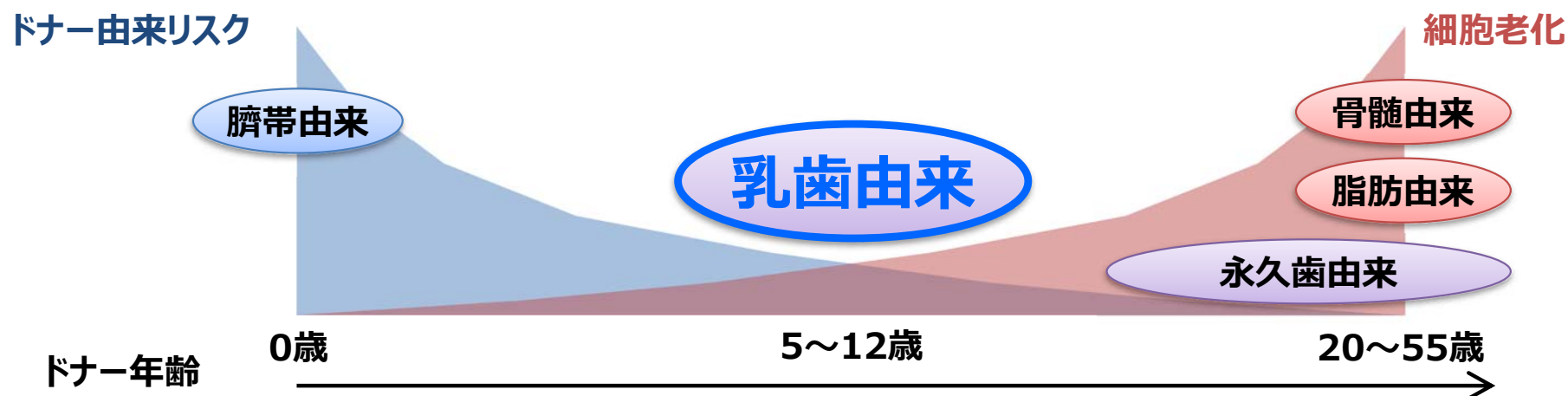
1. Miura M. et al. PNAS (2003) 100(10):5807-12.  
SHED: stem cells from human exfoliated deciduous teeth.
2. Nakajima K. et al. BBRC. 2018 ;497(3):876-882.  
Comparison of the bone regeneration ability between stem cells from human exfoliated deciduous teeth, human dental pulp stem cells and human bone marrow mesenchymal stem cells.
3. Mead B. et al. PLoS One. (2014)9(10):e109305.  
Paracrine-mediated neuroprotection and neuritogenesis of axotomised retinal ganglion cells by human dental pulp stem cells: comparison with human bone marrow and adipose-derived mesenchymal stem cells



Sonoda et al. Arch Stem Cell. 2015より改変

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



## 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150万人(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

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

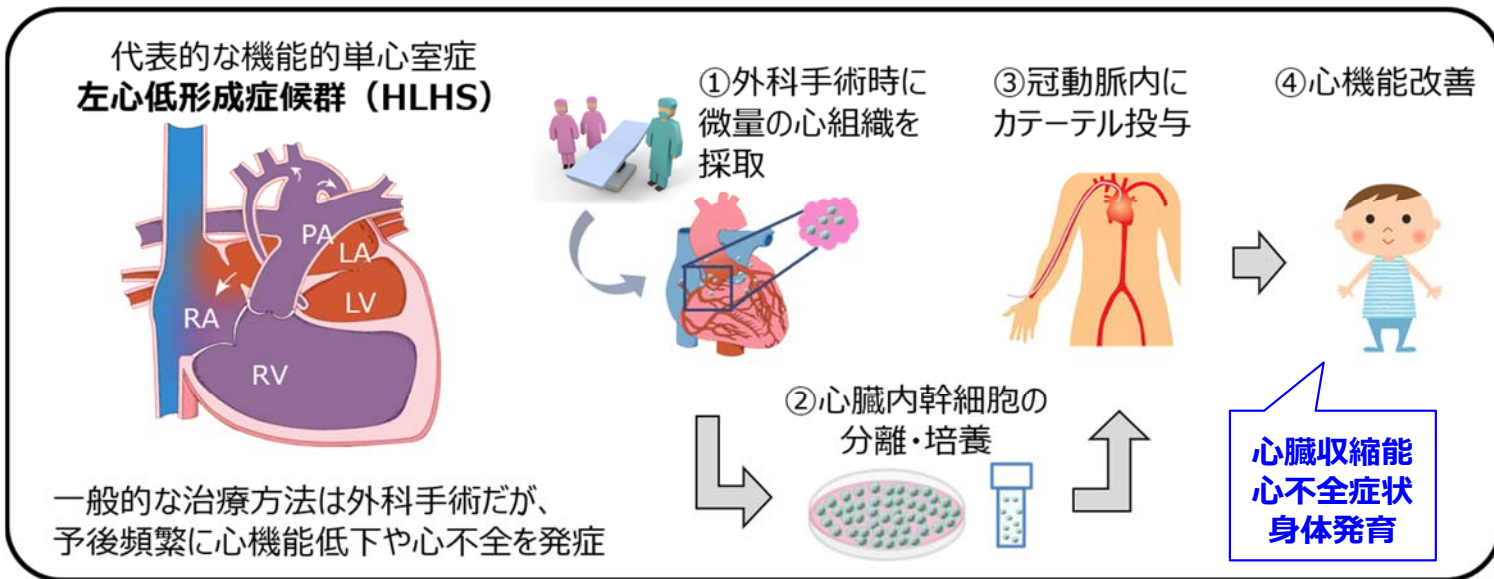


根治療法

対症療法



## 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

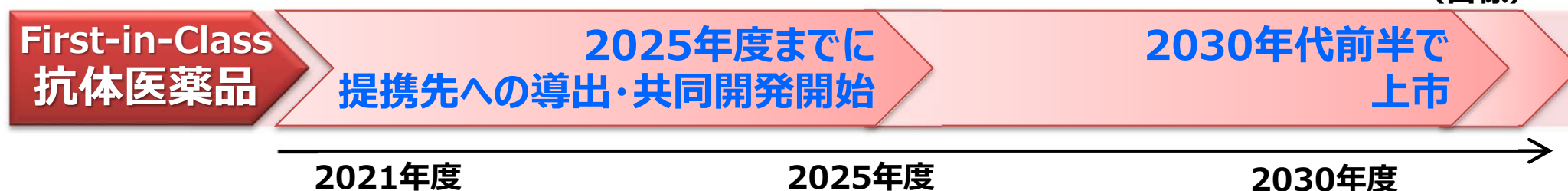
代替治療法の費用は約1,800万円／人

➤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

➤パートナー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。

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

## （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】

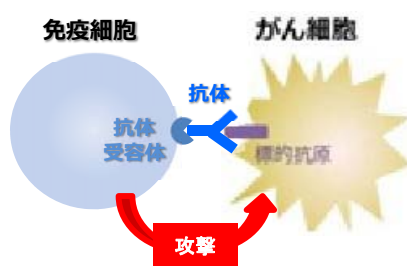
既存治療法：CAR-T細胞治療  
キムリア、イエスカルタ、テカルタスなど  
2020年度で全世界720億円の売上高だが、**2026年頃には3,000億円を超える**という予想もある。

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。

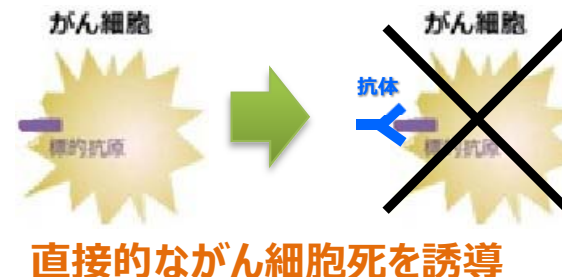
### 【当社の目指す方向】

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】



## （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。**

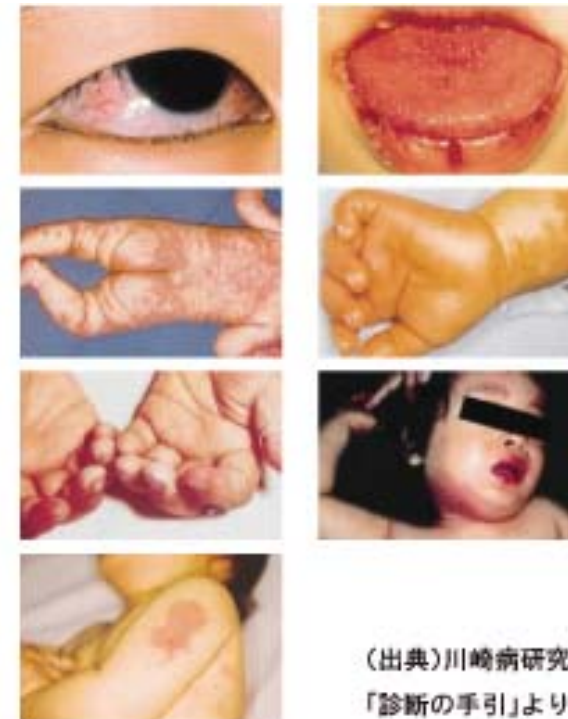
### 【市場概況（当社試算）】

#### 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



## （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】

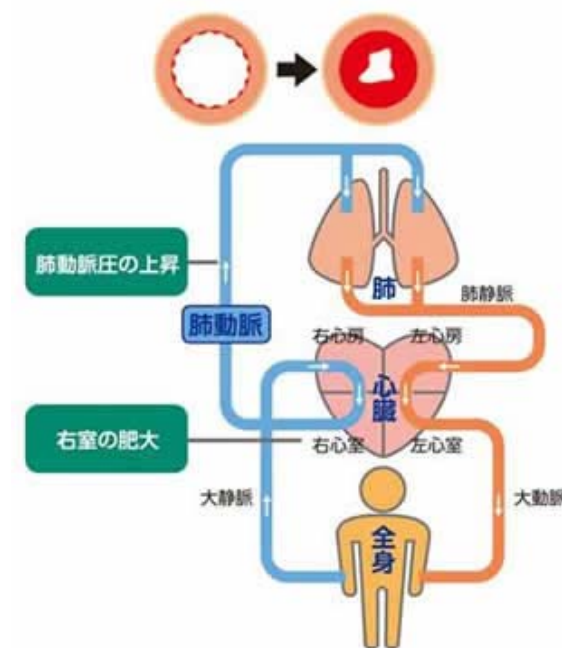
- ✓ 血管拡張薬による治療法があるが、病態の進行した患者様には治療効果が限定的である。
- ✓ 患者数の多い左心機能不全や慢性閉塞性肺疾患に合併する肺高血圧症には効果が確認されていない。

### 【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

## 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 (ユルトミス)  
ブロールシズマブBS (ベオビュ)、ウステキヌマブBS (ステララ) 等

\* 開発パートナーとの協議次第

# 各パイプラインの進捗：バイオ新薬

開発番号	対象疾患	基礎研究	開発研究	臨床試験（治験）			申請・審査 承認・上市	提携先
				第1相	第2相	第3相		
<b>GND-004</b> 抗RAMP2抗体	眼科疾患、がん							導出活動中
<b>GND-007</b>	免疫疾患							
<b>新規抗体</b>	がん							札幌医科大学
	がん							MabGenesis(株)

# 各パイプラインの進捗：バイオシミラー

開発番号	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
			第1相	第3相		
<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> ペバシズマブ	がん					
<b>GBS-005</b> アダリムマブ	免疫疾患					
<b>GBS-007</b> ラニズマブ	眼疾患					千寿製薬(株) Ocumension Therapeuticsへ導出（中国 及び台湾）
<b>GBS-008</b> パリビズマブ	感染症					
<b>GBS-010</b> ペ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)

# 各パイプラインの進捗：新規バイオ

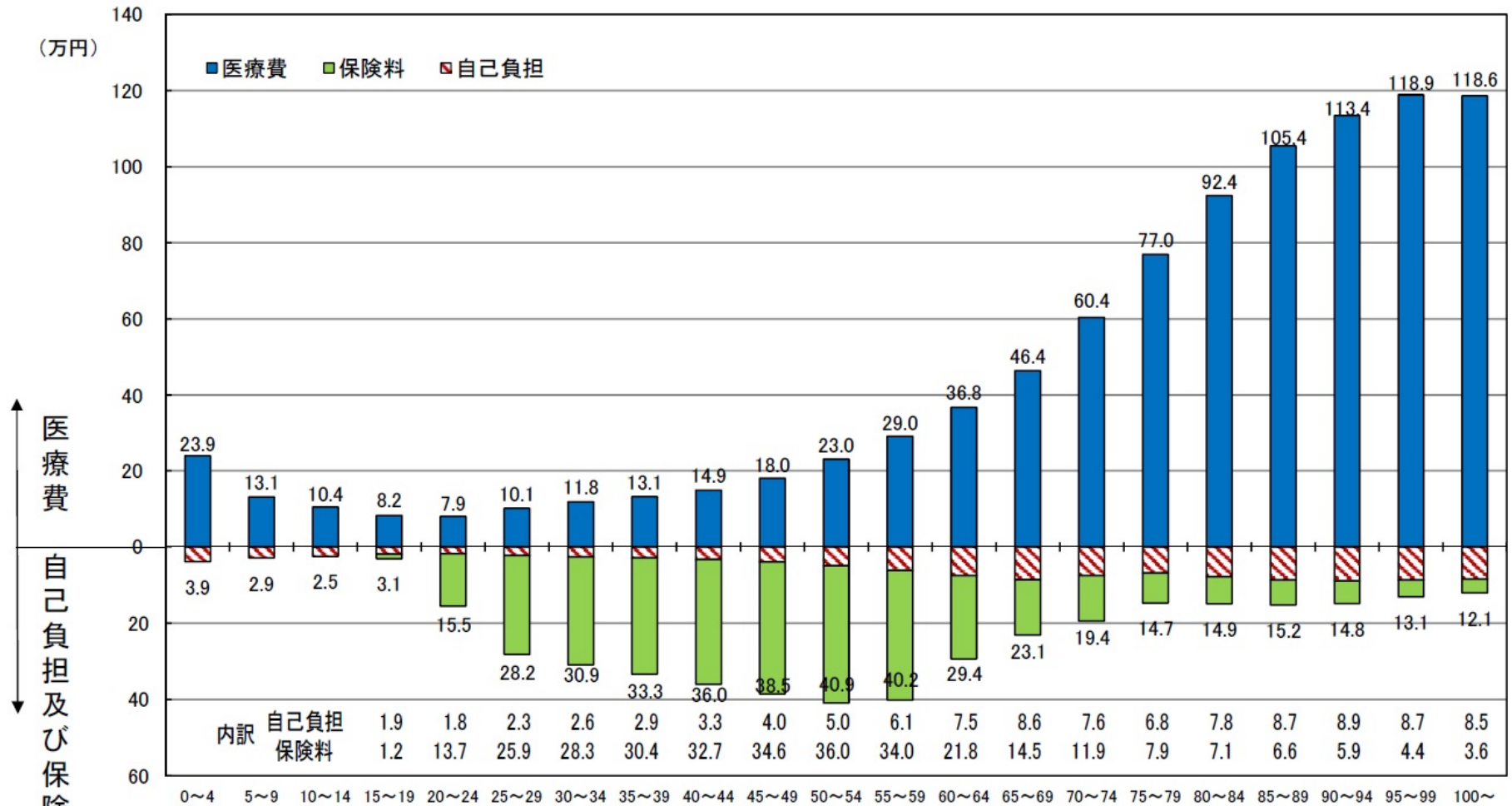
開発番号	対象疾患	基礎研究	非臨床試験	探索的試験 (第1相、第2相)	検証的試験 (第3相)	承認	上市 (市販後調査)
心臓内幹細胞 (CSC) JRM-001	機能的単心室						

開発番号	対象疾患	基礎研究	臨床試験 (治験)	条件・期限 付き承認※	市販 (市販後に有効性、 更なる安全性を検証)	承認	継続して 販売	共同研究企業・大学等
GCT-101	口唇口蓋裂							ORTHOREBIRTH(株)
GCT-102	腸管神経節細胞僅少症							持田製薬(株)
	骨関連							昭和大学
	眼関連							岐阜薬科大学
乳歯歯髄幹細胞 (SHED)	脳性まひ							名古屋大学医学部附属病院 東京医科歯科大学
	末梢神経麻痺							大分大学
	脊髄損傷							名古屋大学
	難治性骨折							北海道大学 総合せき損センター

※再生医療等製品の早期実用化に対応した承認制度  
患者にリスクを説明・同意を得て、先行して使用し、市販後の安全対策を講じる。

**こどもの力になること  
こどもが力になれること**

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)  
(平成年30度実績に基づく推計値)

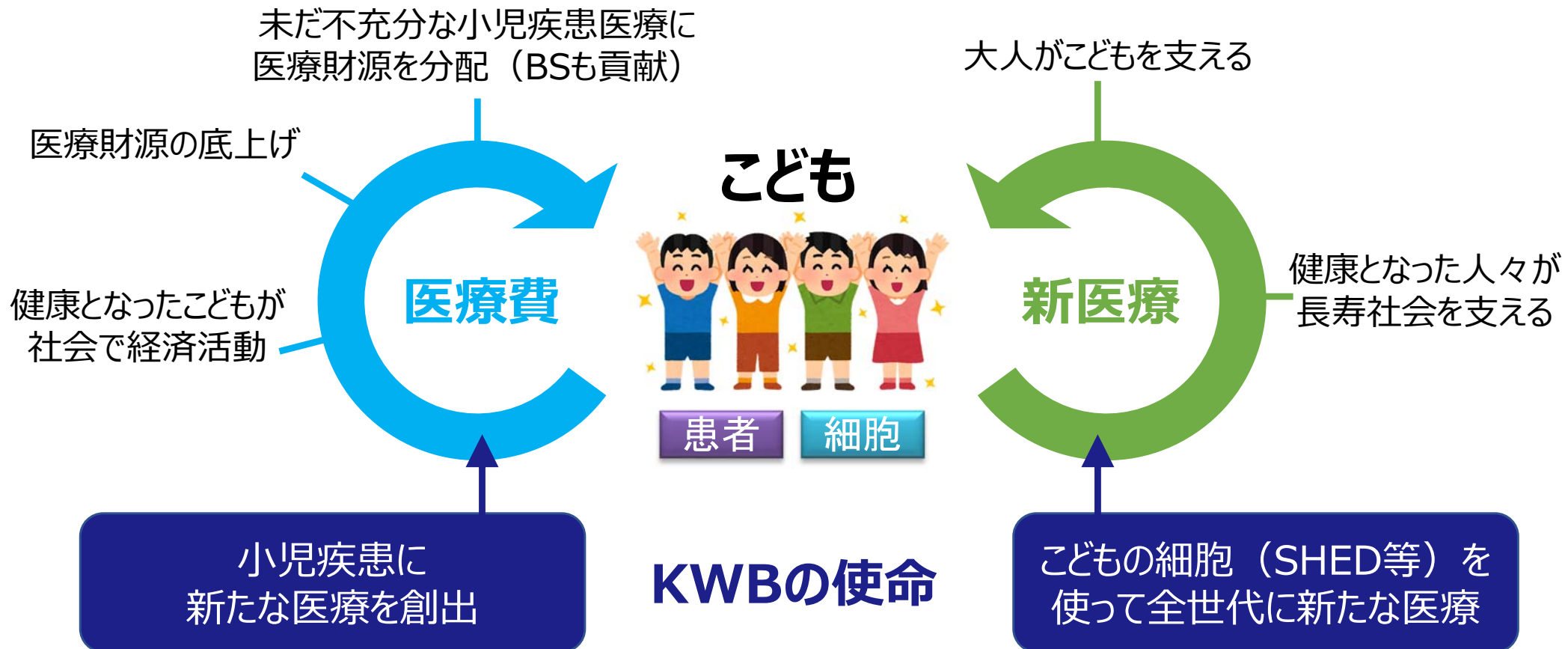


- (注) 1. 1人当たりの医療費と自己負担は、それぞれ加入者の年齢階級別医療費及び自己負担をその年齢階級の加入者数で割ったものである。  
 2. 自己負担は、医療保険制度における自己負担である。  
 3. 予算措置による70~74歳の患者負担補填分は自己負担に含まれている。  
 4. 1人当たり保険料は、被保険者(市町村国保は世帯主)の年齢階級別の保険料(事業主負担分を含む)を、その年齢階級別の加入者数で割ったものである。  
 また、年齢階級別の保険料は健康保険被保険者実態調査、国民健康保険実態調査、後期高齢者医療制度被保険者実態調査等を基に推計した。  
 5. 端数処理の関係で、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

## ■ こどもを起点にした2つの好循環の実現

**新医療**：小児由来の細胞で新たな医療を提供、長寿社会を支える

**医療費**：健康となった小児患者が成人後、経済活動を行い、我が国の医療財源を底上げ





# 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

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**

**Kidswell Bio Corporation**