

事業計画及び成長可能性に関する事項

2022年6月30日

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

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

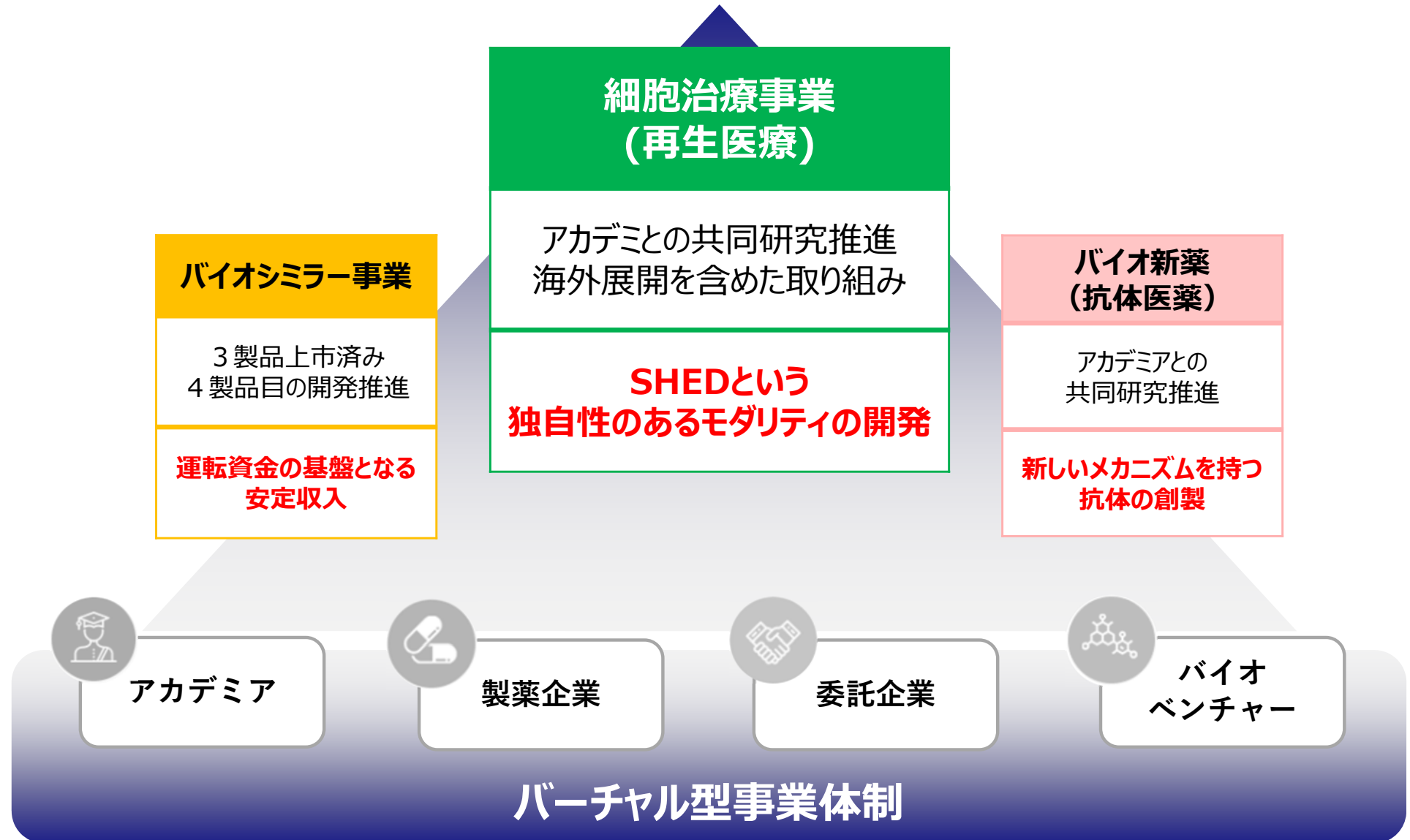
- ・ 少子高齢化が全世界で課題となっている現代社会において、次の世界を築き支えるこどもたちの負担を軽減するのは大きな社会課題
- ・ 病気に苦しむ患者様に早期に新たな治療薬・治療法を提供し、こどもも、こどもを支える大人も、みんなが幸せに明るく暮らすことができる社会の実現に貢献する



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



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

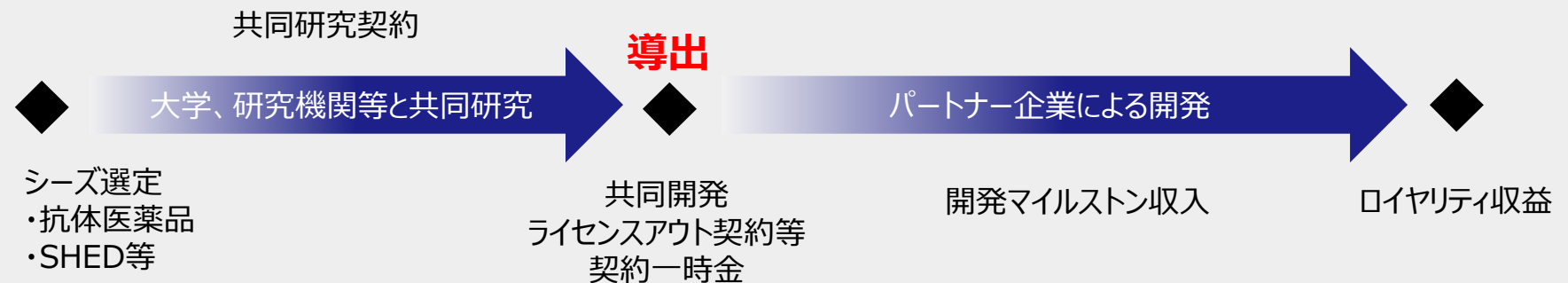


バイオ シミラー



バイオ 新薬

細胞治 療事業



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)

細胞治療

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

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

抗体医薬品

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
(ラニビズマブBS)

4製品目

5製品目以降

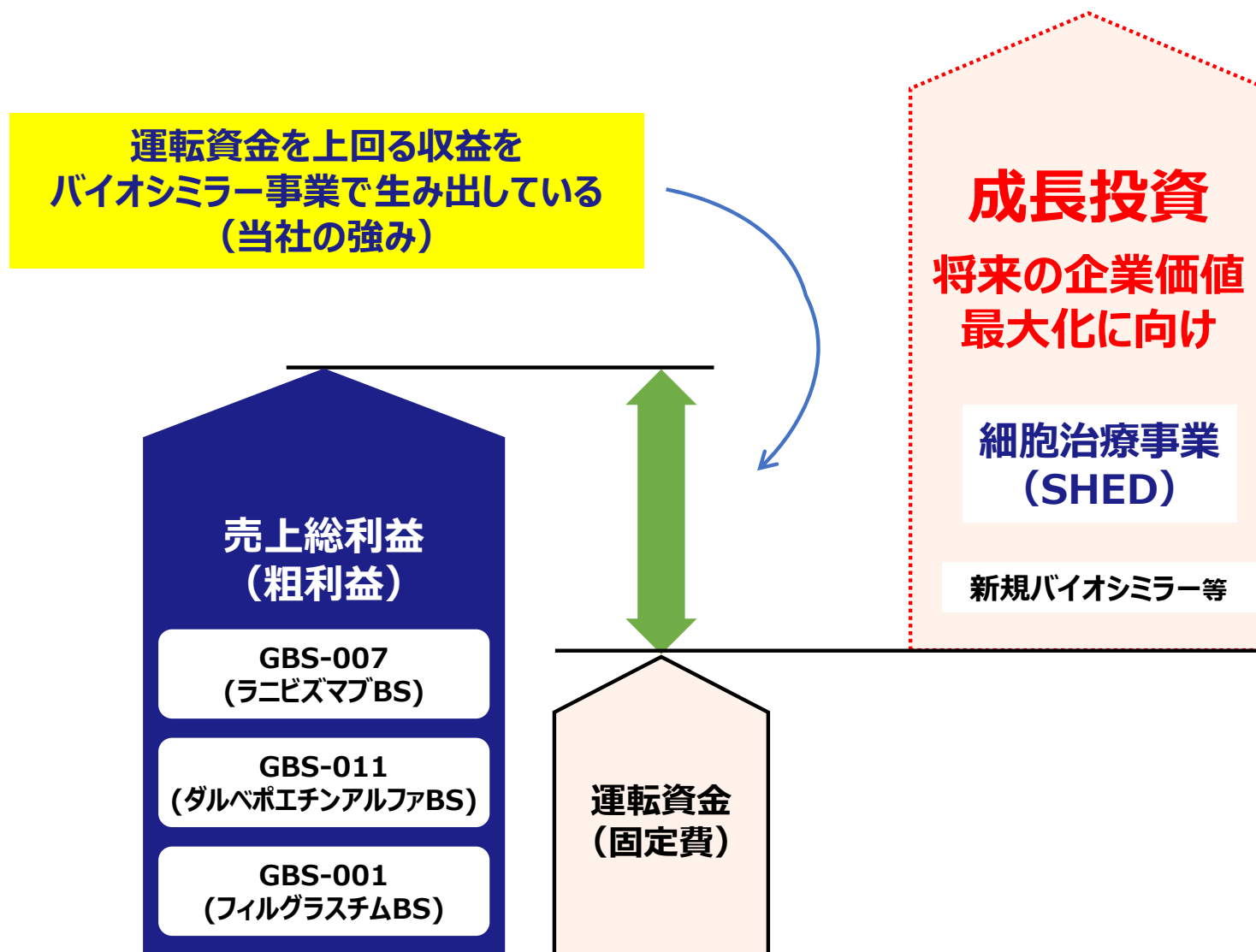
中長期的な“キャッシュフロー”+開発を推進する“人財”+蓄積した“ノウハウ”

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



2022年3月期 業績結果

連結損益計算書

(単位：千円)

科目	2021年3月期	2022年3月期		GAP分析 (対 通期予想)
	4Q実績	4Q実績	通期予想	
売上高	996,543	1,569,232	1,900,000	<ul style="list-style-type: none"> GBS-007の売上計上 GBS-001、011に関する収益は計画を上回る 第4製品目バイオシミラーの原薬製造プロセスに係る原薬販売は、開発計画の変更により予算のうち一部計上（開発スケジュールには影響なし） SHEDのMCBの完成に伴う売上は、次年度に繰り越し
売上原価	119,571	550,357	1,020,000	<ul style="list-style-type: none"> 今期1QにSHEDのMCB完成に向けた最終開発費用として96,000千円を計上（会計上は、受注損失引当金繰入額） 通期予想には、第4製品目バイオシミラーの製造プロセス確立、SHEDのMCB完成に係る一時的な原価約650百万円が含まれる（SHEDのMCB完成に伴う原価は次年度に繰り越し）
売上総利益	876,971	1,018,875	880,000	<ul style="list-style-type: none"> バイオシミラー事業の順調な収益により、売上総利益は予想を上回る実績
販売費及び一般管理費	1,846,659	1,937,994	2,600,000	
研究開発費	963,868	1,150,209	1,800,000	<ul style="list-style-type: none"> 開発計画の見直しによる開発費の機動的な修正 子会社（JRM）譲渡により、JRM-001に係る開発費の見直し GBS-007の原価低減施策に係る費用が一部次期へ繰越
その他販管費	882,791	787,784	800,000	<ul style="list-style-type: none"> コスト効率化を実現、次年度も継続対応
営業利益	△969,687	△919,118	△1,720,000	

注：3Qに特別利益の発生（投資有価証券売却益）により、親会社株主に帰属する当期純損失は△535,259千円（通期予想は△1,323,763千円）

- ・ バイオシミラー事業の更なる成長が見込まれる
- ・ SHEDの好調な非臨床試験の結果によって、早期企業価値向上に向けた成長投資を加速

(単位：千円)

科目	2022年3月期 実績	2023年3月期 業績予想	ポイント
売上高	1,569,232	2,900,000	<ul style="list-style-type: none"> ・ GBS-007の受注急増により大きく伸長 ・ 第4製品目バイオシミラーの原薬製造プロセス確立に係る原薬販売、開発マイルストーン収益 ・ SHEDのMCB完成に伴う一時的な売上収益 ・ GBS-001は、販売先の計画に基づき、過年度と比較して売上減少
売上原価	550,357	1,700,000	<ul style="list-style-type: none"> ・ GBS-007の売上増加に伴う原価計上 ・ 第4製品目バイオシミラーの原薬製造プロセス確立に係る原薬販売による一時的な原価計上 ・ SHEDのMCB完成に伴う一時的な原価計上
売上総利益	1,018,875	1,200,000	
販売費及び 一般管理費	1,937,994	2,180,000	
研究開発費	1,150,209	1,400,000	<ul style="list-style-type: none"> ・ SHED開発への成長投資加速（海外展開を含む戦略実行） ・ 好調な非臨床試験の結果を受けて、導出を見越した大量培養のための追加投資 ・ 臨床試験を企業主導で効果的に行うための開発費用 ・ SHED海外展開の戦略実施に係る費用 ・ GBS-007の長期安定供給のための製造能力拡大に係る設備増強資金 ・ GBS-007原価低減施策のための開発費用 等
その他販管費	787,784	780,000	<ul style="list-style-type: none"> ・ コスト効率化を継続
営業利益	△919,118	△980,000	<ul style="list-style-type: none"> ・ SHED開発への成長投資加速により、黒字化達成時期の見極め（KWB2.0）※

※ 黒字化達成時期の見直しについては、P.15以降の「中期経営計画-KWB2.0-」に要因を記載しております

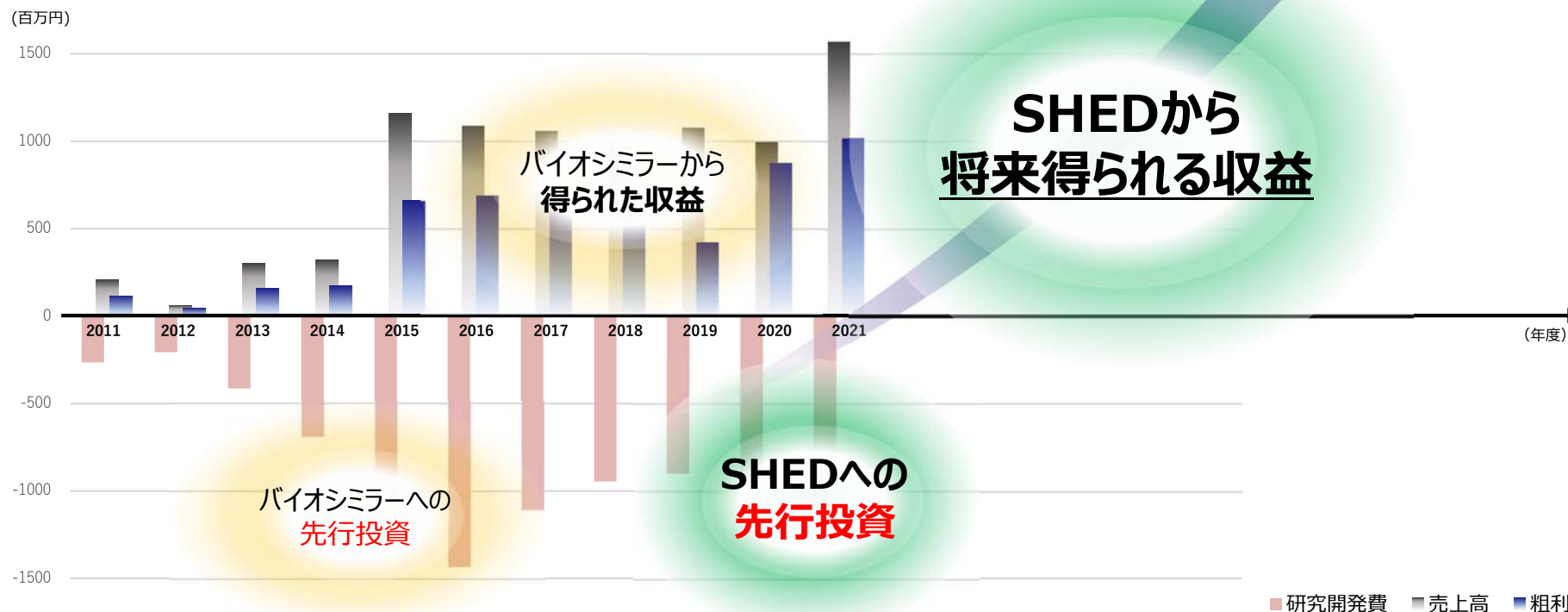
成長戦略 中期経営計画-KWB2.0-

ビジョンの早期実現のために、**SHED（細胞治療）事業への先行投資を積極化**

- 新たに**海外へ展開し**、SHED（細胞治療）研究開発を促進
- 日本国内における事業は継続しつつ、**海外での開発を加速**
- **2030年を目標に細胞治療製品（SHED）の上市・実用化を目指す**
- バイオシミラー事業、バイオ新薬事業は継続

企業価値向上

SHEDを基盤に細胞治療・遺伝子治療製品等を創出するオンリーワン企業を目指す



**SHEDから
将来得られる収益**

**SHEDへの
先行投資**

実用化

第一世代SHEDの早期実用化

第一世代SHEDの製品化のための取り組み

- SHED安定供給体制の確立
- 共同研究等を通じた対象疾患の選定
- 早期実用化に向けた臨床開発体制の構築

技術

『SHED × 次世代技術』の創製

第二世代SHEDの製品化のための取り組み

- シナジー効果を生む次世代技術の導入
- 相乗効果のあるデバイス等との組み合わせ
- 技術導入に向けた提携、買収の推進



SHEDの研究開発へリソースを集中させ、
日本国内に加えて**海外での研究開発を加速**

資金

戦略実行のための資金調達

- 日本市場に加えて、**海外市場からの調達**も推進
- 小規模な調達の繰り返しではなく、**SHED製品化実現を見据えた大規模な調達**を予定
- SHED開発のための資金はエクイティファイナンスによる調達で実行

人財・体制

SHED開発体制の強化

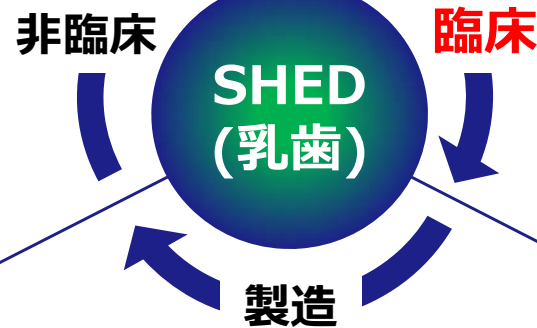
- 国内で製造したSHEDの**海外への搬入体制構築**
- **海外拠点の設立**
 - 海外医療機関・アカデミア等とのネットワーク醸成
 - 日本－海外間のスムーズな連携強化
- 戦略を実現させる**人財の採用、駐在**

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

日本・海外での臨床開発を加速

リアルワールドデータ (RWD)、バーチャル治験 (DCT) などの活用も視野に入れ、臨床試験期間の短縮化を図り、早期実用化を目指す



エスカトル
S-QuatreSM
(SHED Source Supply Service)

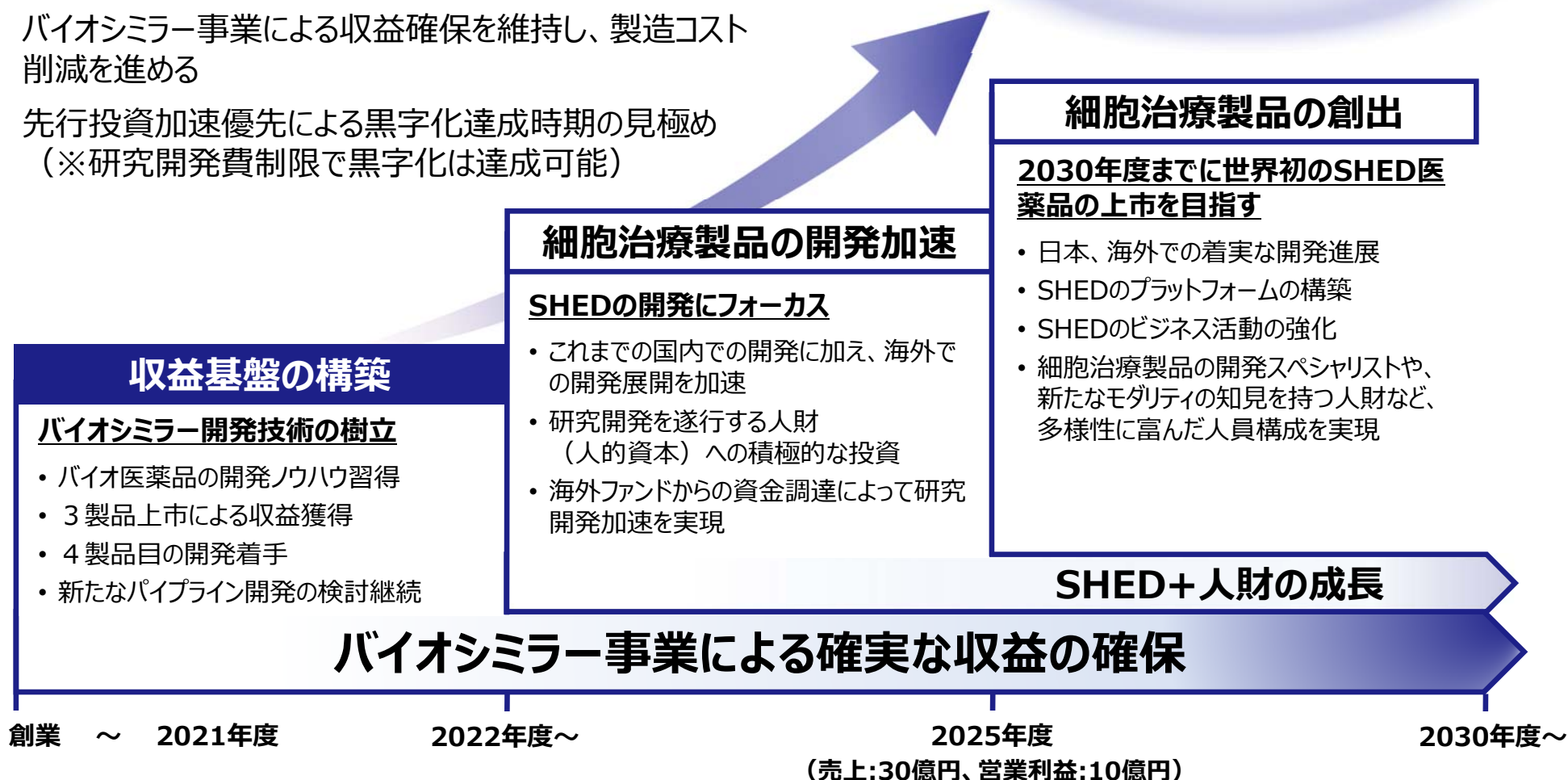


乳歯のドナー登録・SHEDの培養・細胞医療製品等の原料となる
MCB (マスターセルバンク) の製造までの一連の体制を構築

当社ビジョンの早期実現に向けた活動を推進する

- 2022年度からSHED（細胞治療事業）への研究開発を加速させ、ビジョンの早期実現と企業価値向上を図る
- 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
- 先行投資加速優先による黒字化達成時期の見極め（※研究開発費制限で黒字化は達成可能）

KIDS WELL, ALL WELL



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。加えて、2022年6月23日に第4回無担保転換社債型新株予約権付社債並びに第15回新株予約権を発行決議しております。
- これらの資金は、バイオ新薬及び細胞治療事業における再生医療パイプライン、バイオシミラー事業の研究開発資金として充当してまいります。

“こども”を起点にした2つの好循環の実現

KIDS WELL, ALL WELL



新医療

“こども”の細胞を用いて
全世代に新たな医療を実現



医療費削減 医療アクセス向上

より多くの健康な大人が
“こども”を支える社会を実現

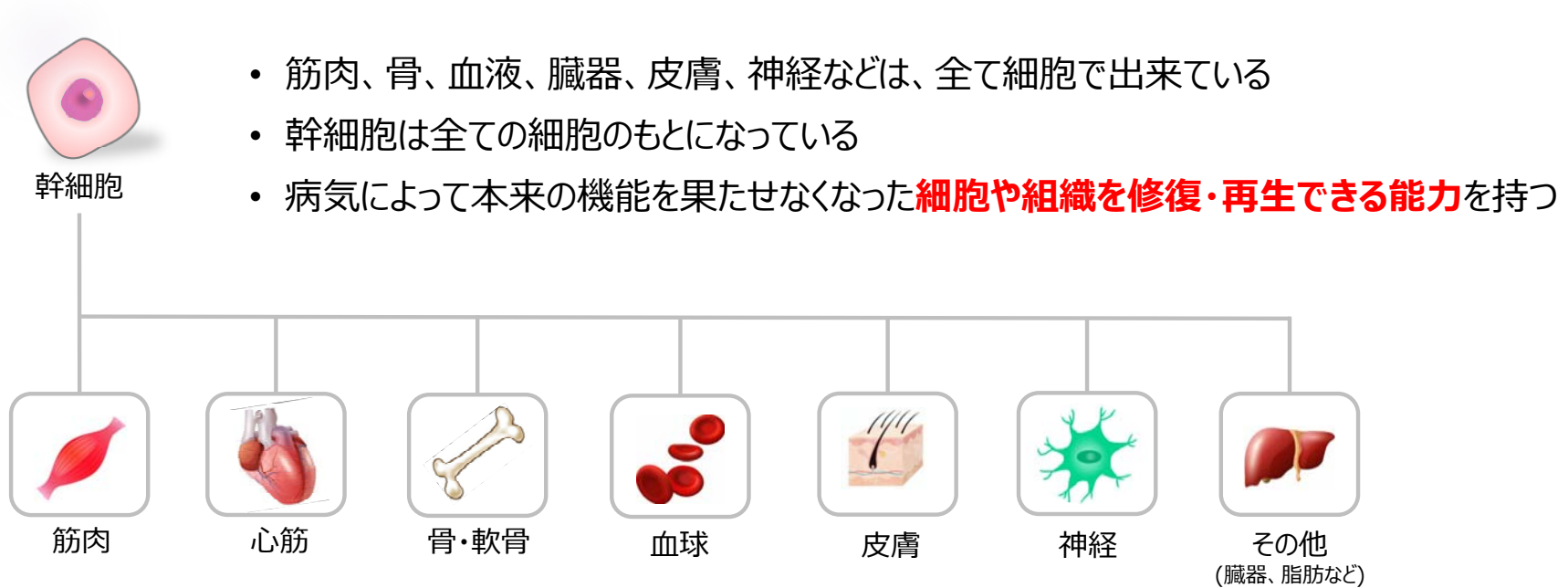


日本・世界の技術・ノウハウを吸収し、効率的な開発体制を構築

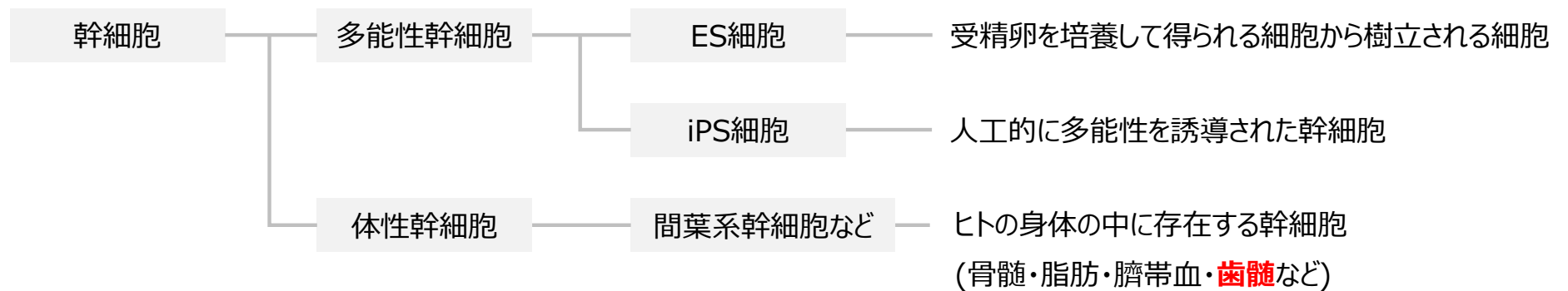
細胞治療事業 (再生医療)

SHED (乳齒齒髓幹細胞)





幹細胞の種類

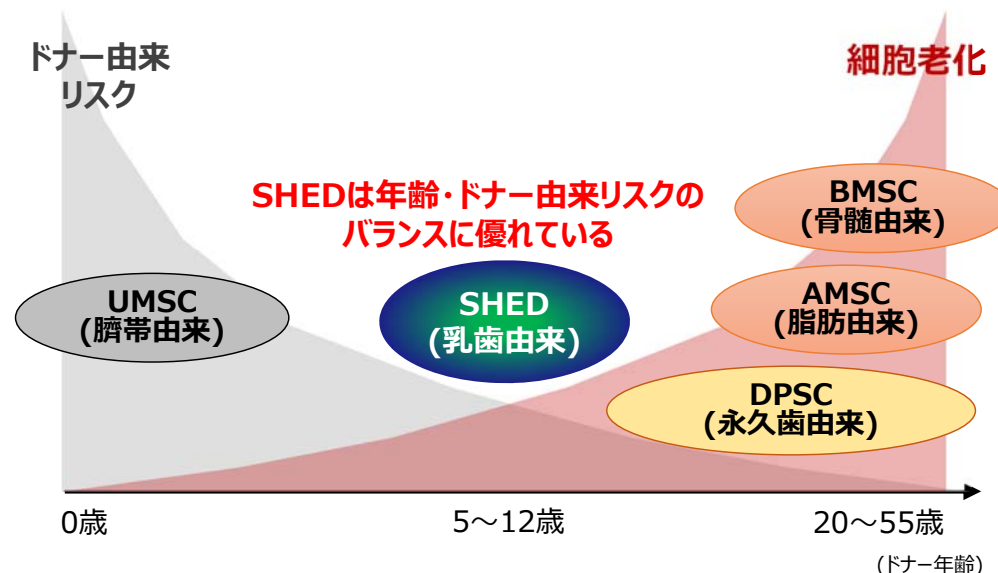


当社は **“乳歯 (こども)” 由来の歯髄幹細胞**の特徴に着目

乳歯歯髄幹細胞

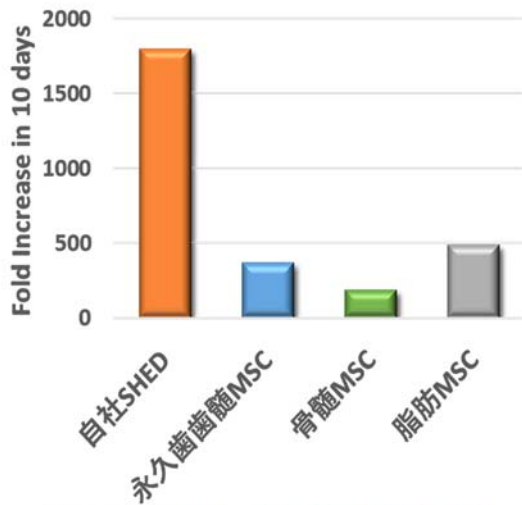
SHED : **S**tem cells from **H**uman **E**xfoliated **D**eciduous teeth

- 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**

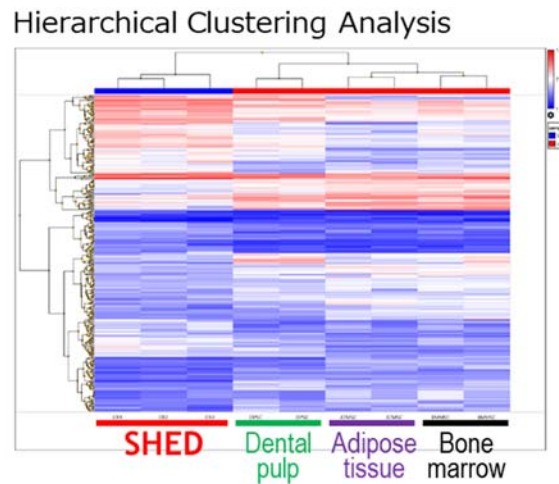


	歯髄 (乳歯)	骨髄	脂肪	臍帯 (臍帯血)
バンクの種類	民間	公的	民間	公的、民間
ドナー年齢	5-12歳程度	20歳以上 55歳以下	大部分は20歳以上 (推測)	0歳
採取チャンス	乳歯の生え変わり時 (通常20回)	骨髄移植時	脂肪吸引等 の手術時	出産時 (1回)
ドナーへの負担	低い	高い	高い	非常に低い
細胞増殖力	非常に高い	高い	高い	研究段階

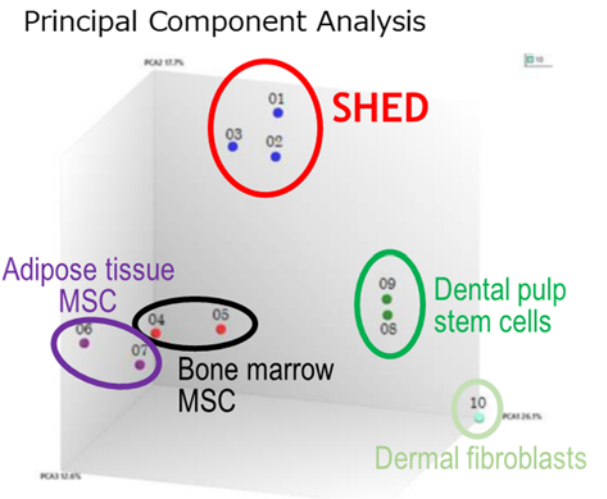
発生学的に神経堤由来(neural crest cell)である歯髓幹細胞は、特に**神経系および筋骨格系の疾患**への応用が期待できる



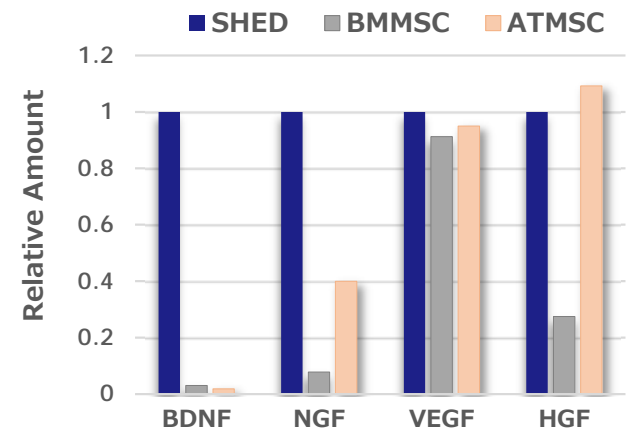
SHEDは若く、増殖能が高い*



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

※全て自社データ

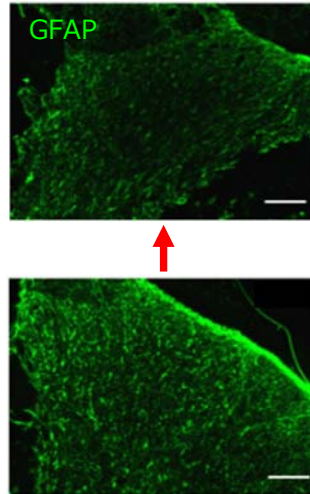
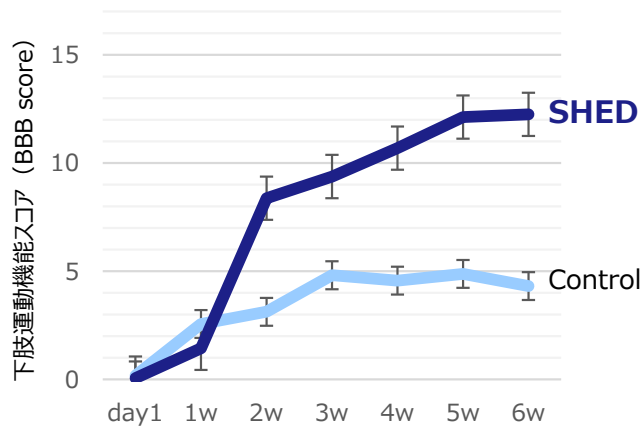
2030年度に向けた成長を牽引するSHED開発プロジェクト

開発品	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
第一世代 SHED	口唇口蓋裂 <small>小児</small>	摂食障害、 言語障害	口唇形成術 + 腸骨移植	顎骨再生	ORTHOREBIRTH(株)	2,000人/年	新生児1万人中 15人
	腸管神経節 細胞僅少症 <small>小児</small>	腸閉塞	腸管切除、 人工肛門造設	神経節再生	持田製薬(株)	100人	—
	脳性まひ <small>小児</small>	四肢麻痺、 姿勢障害	未確立	神経保護・ 賦活・再生	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
	脊髄損傷 <small>小児 含む</small>	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
	難治性骨折	慢性痛、 歩行障害	未確立	骨再生	北海道大学 総合せき損センター	10万人/年	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	—
	視神経損傷	※	※	※	岐阜薬科大学	※	※
第二世代 SHED	検討中	※	※	※	ナノキャリア(株)、 (株)バイオメティクスシンパ シーズ	※	※

※詳細非開示

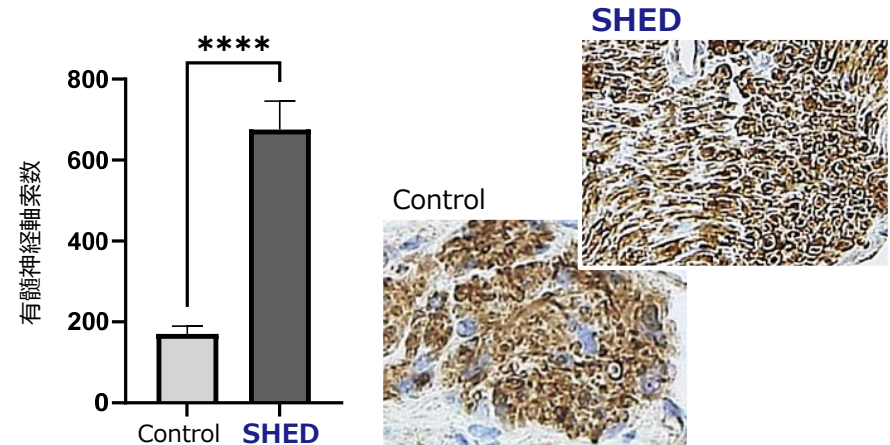
神経系および筋骨格系の疾患への応用を目的とした各アカデミアとの共同研究で、SHEDの高いポテンシャルを表すデータを蓄積した（許可を得られた範囲のみ開示）

脊髄損傷 (Spinal Cord Injury)



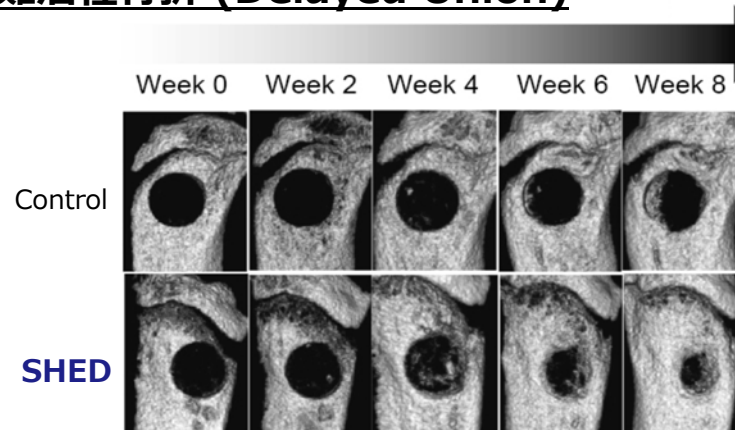
SHED投与により運動機能とグリオーシスが改善

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)

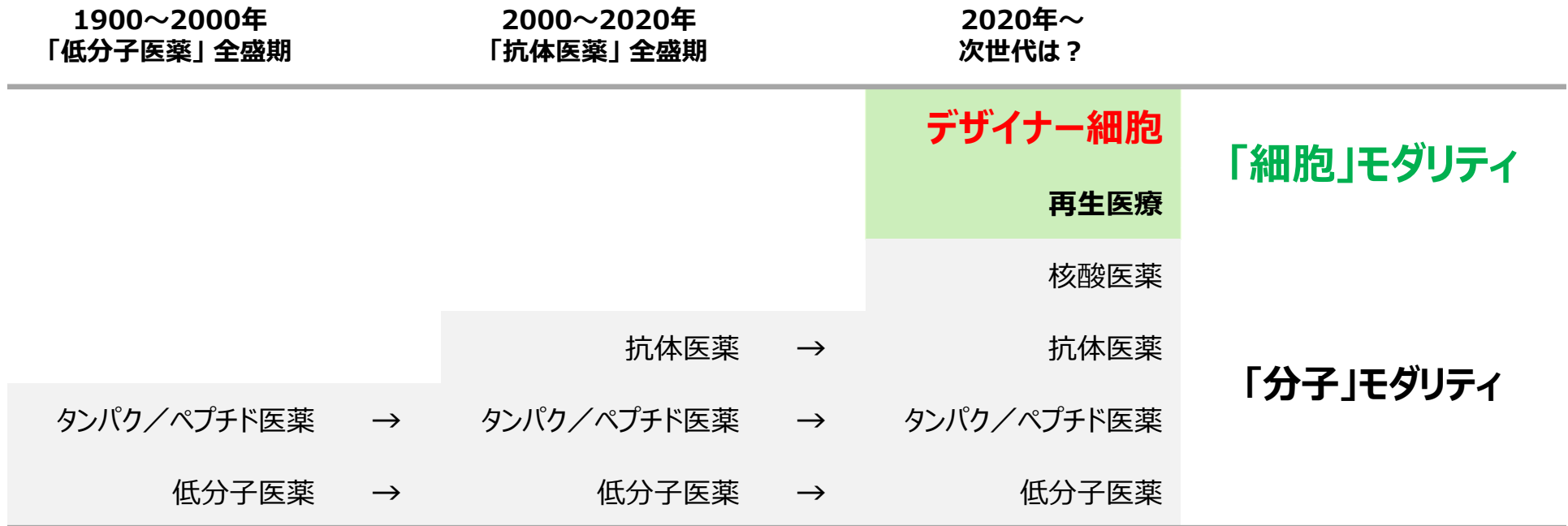
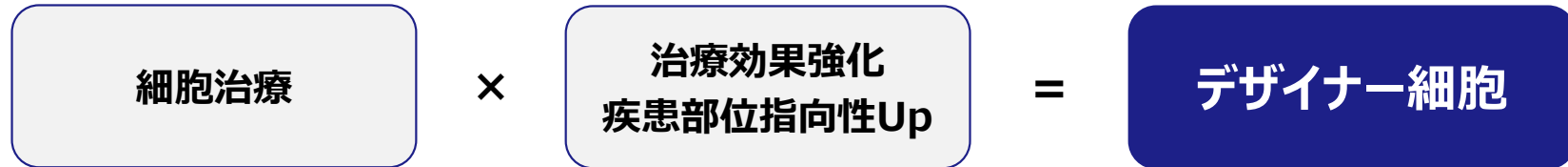


SHED移植により欠損した骨が再生

第二世代SHED



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**

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)バイオメテックスシンパシーズ)
- 各種導入遺伝子の効果検証
(例：名大, 浜松医大)



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



製造・供給体制 (S-Quatre)



SHEDのMCB（マスターセルバンク）のGMP製造

原料の製造

工程	ドナー募集 (乳歯)	抜歯	単離・培養・MCB製造	最終製品開発
機 関 名	ChiVo Net 	東大病院 昭和大歯科病院	ニコン・セル・イノベーション (細胞受託開発・製造業者)	開発パートナー
役 割	乳歯ドナー候補の 安定確保	乳歯ドナー候補の 全身状態の確認および 歯科/口腔外科での抜歯 <ul style="list-style-type: none"> 同意説明・同意取得 研究対象者（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 研究実施に関連する情報の管理 個人情報・対応表（研究用ID）の管理 	GMP/GCTP下での MCB製造 <ul style="list-style-type: none"> 抜去歯の受け入れ 歯髄組織からSHEDを単離・培養 MCBの製造 	MCBを開発パートナーに供給し、最終製品を開発 <ul style="list-style-type: none"> 細胞治療薬、ex-vivo遺伝子治療薬、エクソソーム治療薬等の最終製品の製造にMCBを使用 当社が最終製品まで委託製造することも可能

エスカトル
S-QuatreSM
 (SHED Source Supply Service)

SHED中間製品（MCB）
 提供サービスを事業化

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

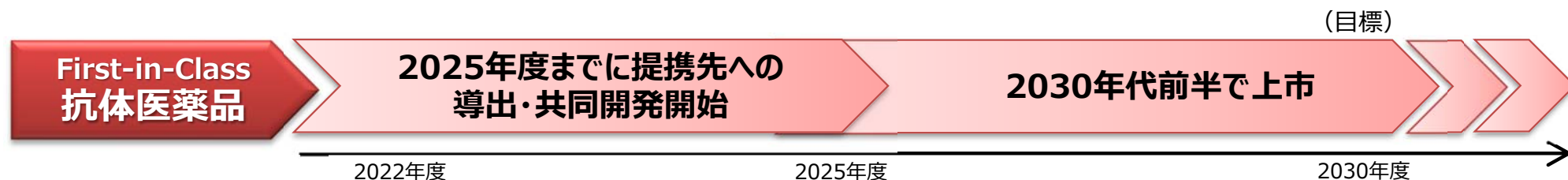
(* 産生細胞株内で目的タンパク質の立体構造を正しく整える技術)

(株)Chromocenter	SOLA Bioscience
人工染色体技術による 遺伝子コピー数の増大 ⇒ mRNAを大量に作製	Tap Boost技術による 巻き戻し効率の増大 ⇒ 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			
GBS-001 フィルグラスチム	がん					★	富士製薬工業(株) 持田製薬(株)
GBS-004 ベバシズマブ	がん						
GBS-005 アダリムマブ	免疫疾患						
GBS-007 ラニズマブ	眼疾患					★	千寿製薬(株) Ocumension Therapeutics
GBS-008 パリビズマブ	感染症						
GBS-010 ペグフィルグラスチム	がん						
GBS-011 ダルベポエチンアルファ	腎疾患					★	(株)三和化学研究所
GBS-012 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】

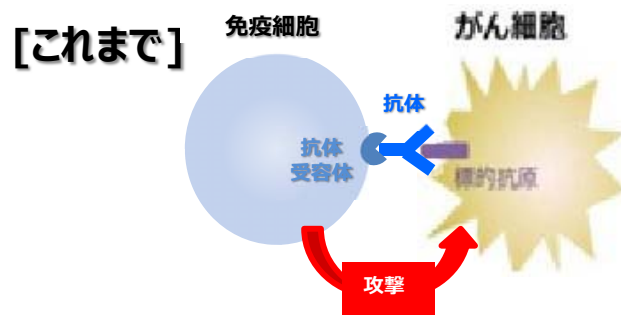
- 免疫力の低下している悪性リンパ腫の患者様にも高い有効性を示す画期的な治療用抗体の創出を目指す
- 悪性リンパ腫細胞に結合し、直接的に死滅させる全く新しい作用機序**を有する抗体の研究開発中

【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。



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】

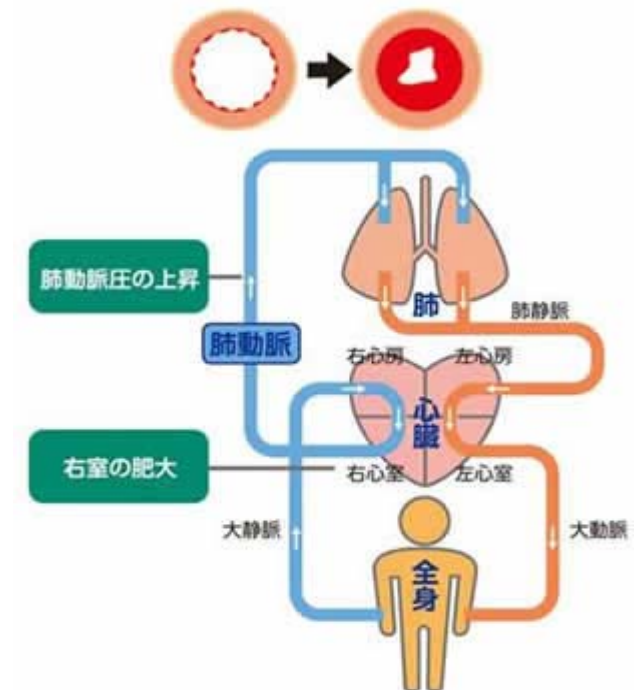
- 血管拡張薬による治療法があるが、病態の進行した患者様には治療効果が限定的である
- 患者数の多い左心機能不全や慢性閉塞性肺疾患に合併する肺高血圧症には効果が確認されていない

【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**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

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

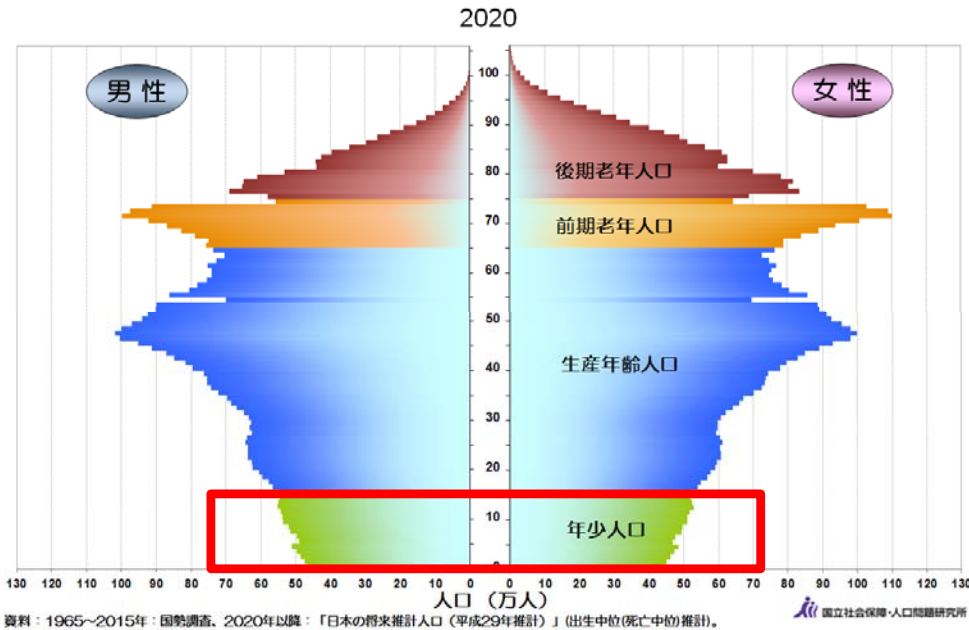


疾患の細分化
個別化医療

- 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 —

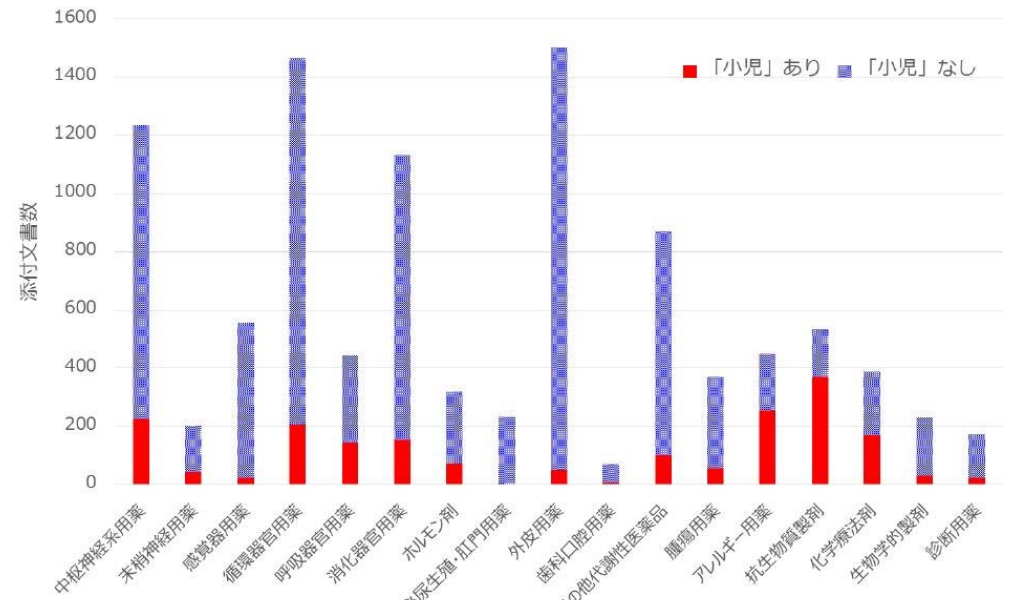
日本の人口ピラミッド



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。

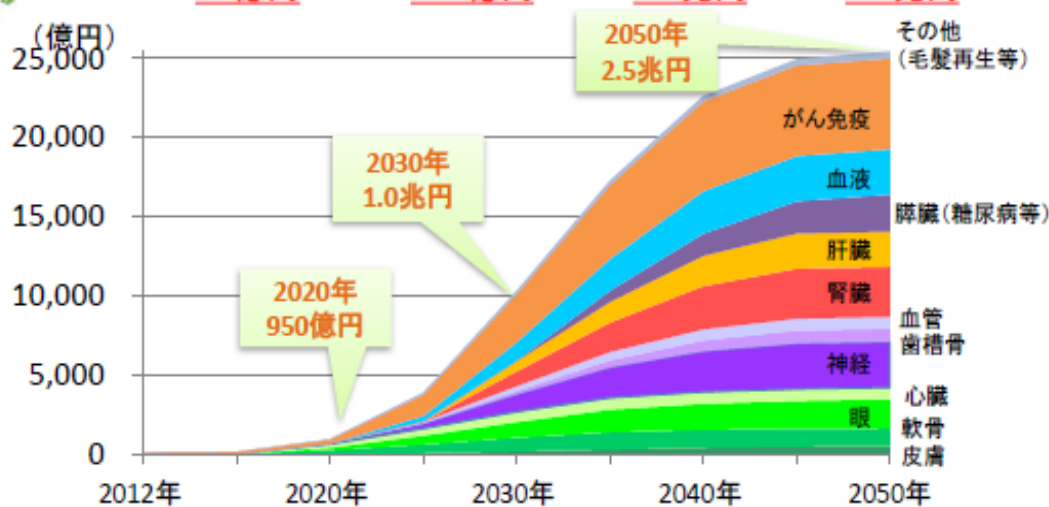
国内外の再生医療の将来市場規模予測



○ 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。

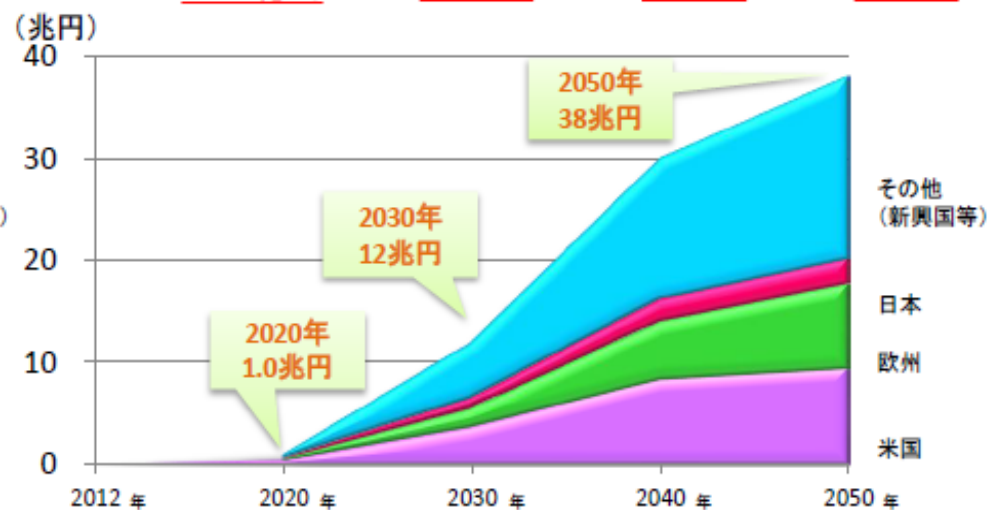
再生医療の将来市場規模予測(国内)

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



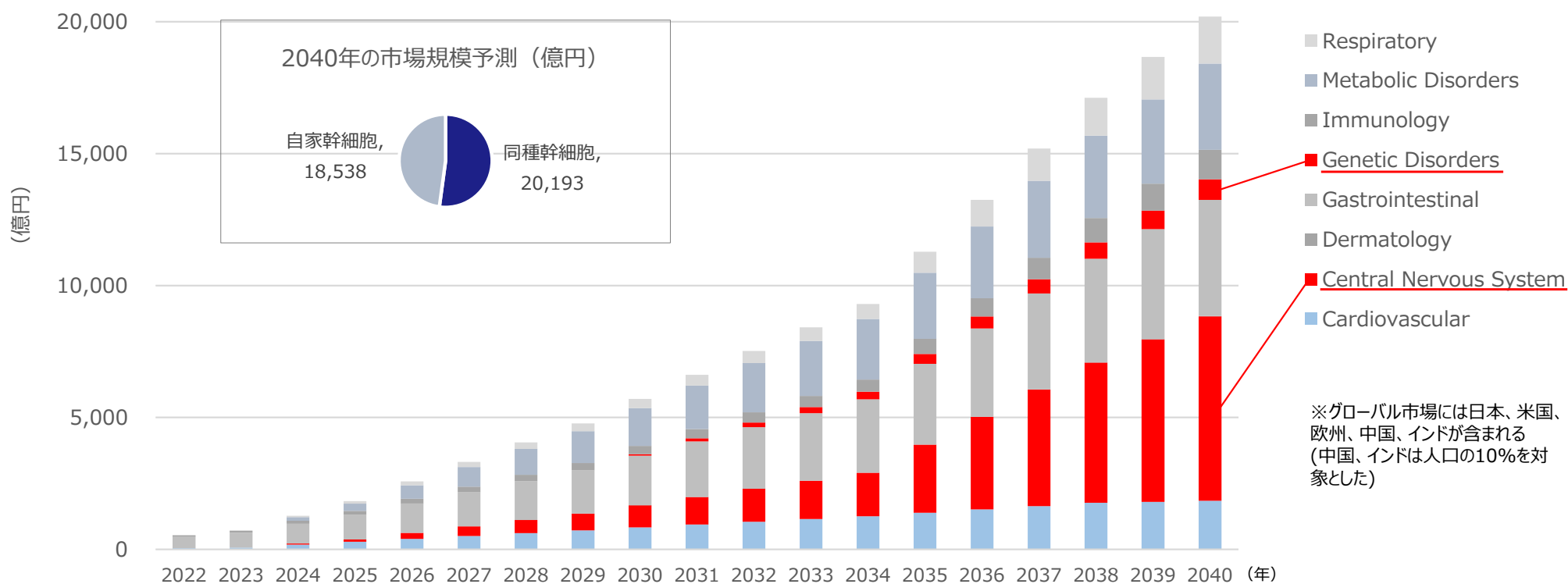
再生医療の将来市場規模予測(世界)

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

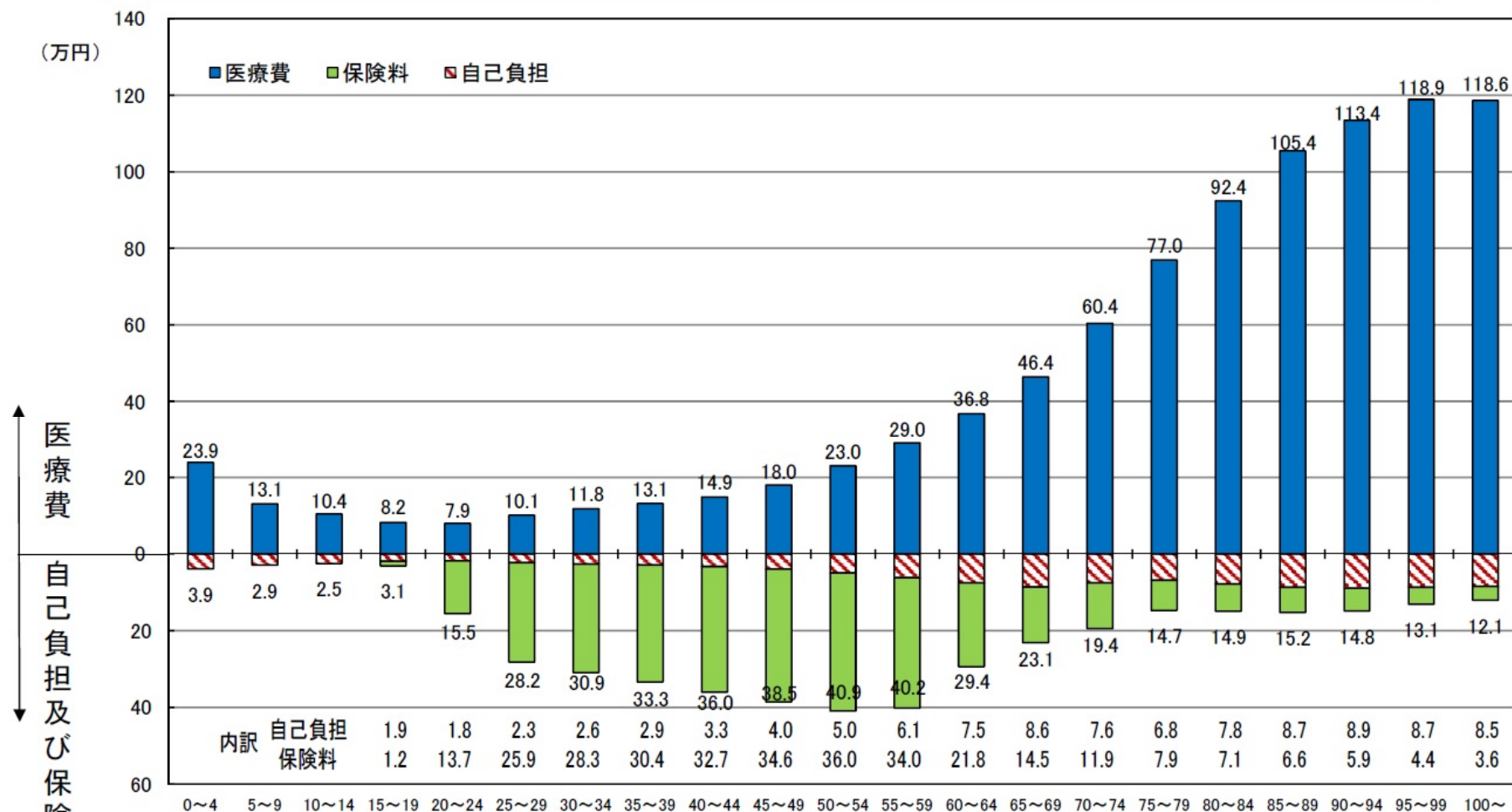
SHEDの対象とする神経系および筋骨格系疾患領域は、 2040年には7,000億~8,000億円規模の市場に成長



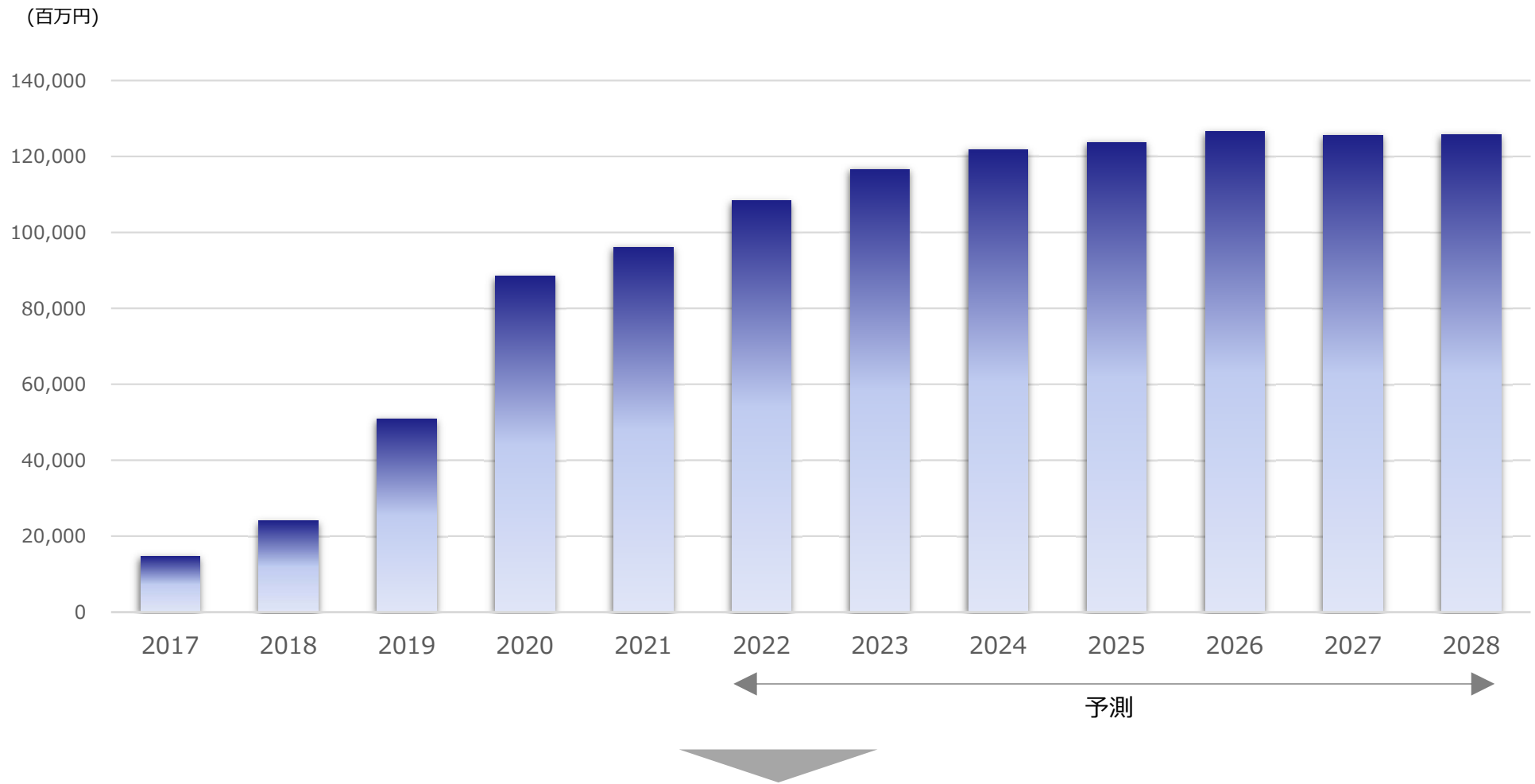
同種幹細胞の市場規模予測 (グローバル)

**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)
(平成年30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。



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	
GBS-001 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
GBS-007 ラニズマブ	眼疾患	加齢黄斑変性症等	290億円	—	290億円
GBS-011 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争に関するリスク	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。

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