

R&D Meeting 2022

～細胞治療事業（再生医療）の成長戦略～

2022年11月9日

キッズウェル・バイオ株式会社

1. オープニング

- 細胞治療事業（再生医療）のパイプライン

谷 匡治
代表取締役社長
(CEO)

2. SHED（乳歯歯髄幹細胞）のプラットフォーム化に向けた取り組み

- 知財戦略
名古屋大学との“脳性まひ治療”に関する特許共同出願
- 第二世代SHED
浜松医科大学との協働による研究 -脳腫瘍への適用可能性-

川上 雅之
執行役員 研究開発本部長
(COO)

三谷 泰之
事業開発本部 事業開発部長 兼
製品戦略室 再生医療ユニット長

3. SHEDの市場ポテンシャル

- 将来の再生医療等製品の市場規模
- SHEDの市場ポテンシャル -神経系・筋骨格系、脳腫瘍(がん)-

谷 匡治
代表取締役社長
(CEO)

4. ビジョンの実現に向けて

- キッズウェル・バイオのビジョン

谷 匡治
代表取締役社長
(CEO)

1. オープニング

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※2	世界患者数※2
第一世代 SHED	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
	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	—
	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	—
	視神経損傷	※1	※1	※1	岐阜薬科大学	※1	※1
	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	—
	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
第二世代 SHED	脳腫瘍	生命予後 不良	外科的手術、 放射線治療、 化学療法	抗腫瘍、再発 抑制	浜松医科大学	2万人/年	累計83万人
	※1	※1	※1	※1	ナノキャリア(株)、 (株)バイオメテイクス シンパシーズ	※1	※1

2. SHEDのプラットフォーム化 に向けた取り組み

知財戦略

研究開発戦略・事業開発戦略・知財戦略による三位一体の経営戦略を推進

研究開発戦略

- 先行特許情報分析に基づいた研究開発戦略の立案
- 対象疾患の現状と問題点調査を踏まえた研究・知財戦略の立案

事業開発戦略

- 事業提携、導出活動への自社特許ライセンス、および特許相互利用
- アカデミアを含む開発パートナーとの共同特許出願の推進

経営戦略

知財戦略

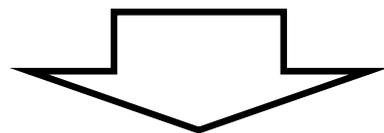
研究開発戦略・事業開発戦略と連携した知財戦略を構築

- 戦略的な特許出願と、特許ライフサイクルマネジメント推進
 - 国内だけでなく、欧米アジア主要各国での権利化の推進
- 具体的には、
- ✓ SHEDと他細胞との差別化による「物質(細胞)特許」の出願
 - ✓ 対象疾患治療の権利を確保する「用途特許」の出願
 - ✓ 特許期間延長に向けた「製剤化」「投与方法」特許など出願

2022年10月24日

国立大学法人東海国立大学機構との乳歯歯髄幹細胞（SHED）を用いた 脳性まひ治療に関する特許共同出願のお知らせ

当社は、これまで主に名古屋大学（2020年4月より国立大学法人東海国立大学機構が発足し、同大学の設置者となる。）と共同で進めてきた乳歯歯髄幹細胞（以下、「SHED」といいます。）を用いた脳性まひ治療に関する研究において、この度当該疾患モデル動物に対するSHEDの治療効果を確認し、SHEDを含む治療剤候補（以下、「本発明」という。）の創出に成功しました。つきましては、東海国立大学機構と特許共同出願等契約書を締結し、本発明に関する特許の出願をいたしましたので、下記のとおりお知らせいたします。



**特許出願した研究成果の一部は、
日本新生児成育医学会（11月24～26日）にて
発表予定**

研究開発戦略・事業開発戦略・**知財戦略**による三位一体の経営戦略を推進

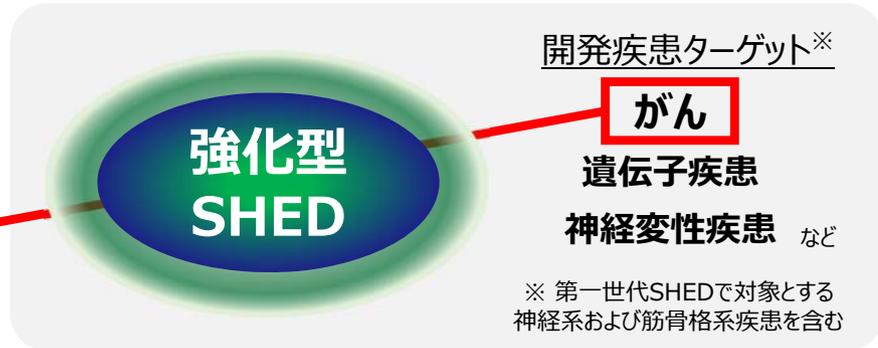


研究開発戦略・事業開発戦略と連携した知財戦略を構築

第二世代SHED

高い治療目標を達成するために強化型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：浜松医大、名大)



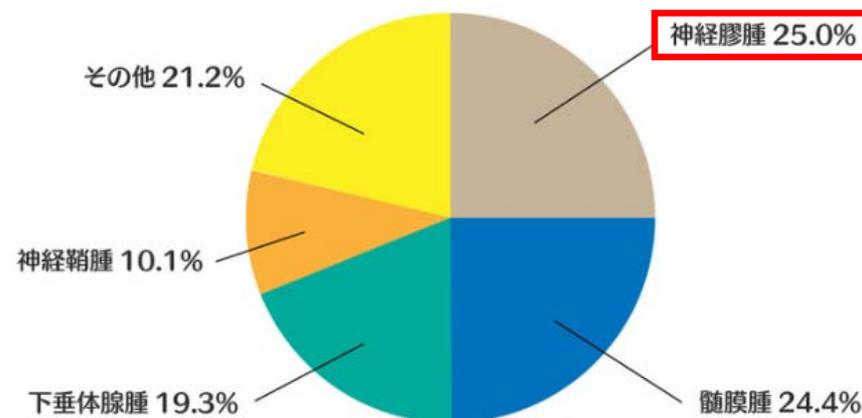
より高い機能を持つ強化型SHEDの開発を目指す

	感染症	生活習慣病	変性疾患 (神経・臓器)	自己免疫疾患	がん	遺伝子疾患
	小児疾患					
根治療法	第二世代SHED『デザイナー細胞』					
	ワクチン (予防・治療)	第一世代SHED 細胞治療 非変異型幹細胞など		改変型細胞治療 (幹細胞ベース) 遺伝子導入等で機能を付加・強化		
対処療法	低・中分子医薬		治療 アプリ			
				抗体医薬		
				核酸医薬		

脳腫瘍：

- 原発性と転移性があり、最も多いのが原発性の神経膠腫（グリオーマ）
- 神経膠腫の5年生存率は低く、10%以下とされている
- 転移性も脳腫瘍全体の約15%と多く、その半数は肺がんからの転移
- 転移性脳腫瘍の5年生存率も10~30%と低い

原発性脳腫瘍（WHO grade I-IV）



脳腫瘍全国集計調査報告 2001-2004

脳腫瘍の種類別 5年生存率

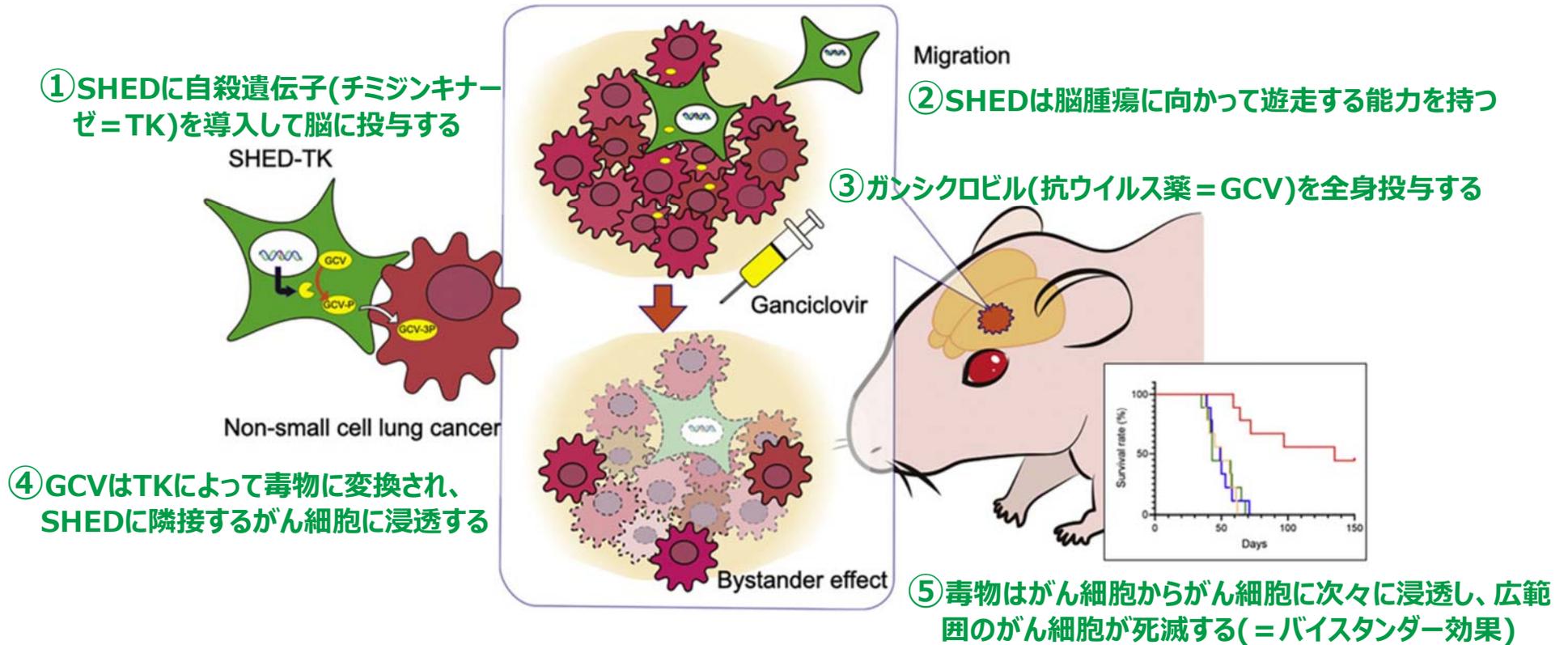
Histology/Year	1969-1975	1976-1980	1981-1985	1985-1990	1991-1996	1997-2000	2001-2004
Diffuse astrocytoma	50.9	63.2	61.6	62.8	66.5	68.3	75.0
Oligodendroglioma	54.5	75.1	80.4	78.3	82.0	87.8	90.0
Anaplastic astrocytoma	21.7	25.3	27.1	20.7	23.4	33.9	41.1
Anaplastic oligodendroglioma	31.2	68.5	66.8		68.2	63.0	68.2
Glioblastoma	11.9	12.0	9.8	7.6	7.0	6.9	10.1
Ependymoma	42.4	55.8	68.9	65.2	72.9	75.1	86.3
Anaplastic ependymoma	22.9	50.9	22.9	37.6	23.5	60.1	58.1
Primary CNS lymphoma						23.4	42.3
Medulloblastoma	22.2	32.1	36.3	41.8	60.1	58.0	68.7
Germinoma	63.3	74.6	89.0	88.8	91.0	94.6	97.1
Meningioma	99.6	100.0	100.0	91.8	93.7	95.9	97.4
Neurinoma	91.9	100.0	100.0	95.1	96.9	98.0	98.8
Pituitary adenoma	100.0	100.0	100.0	95.5	96.2	97.4	98.7
Brain metastases	11.0	8.5	9.2	9.4	13.6	15.0	26.3

原発性

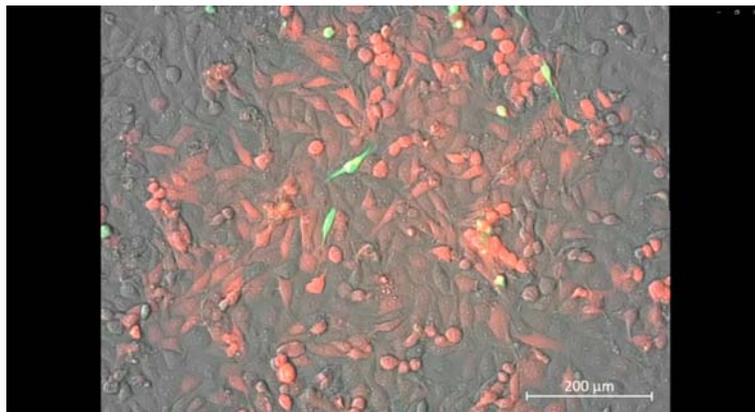
転移性

自殺遺伝子導入SHEDを用いた脳腫瘍治療のコンセプト

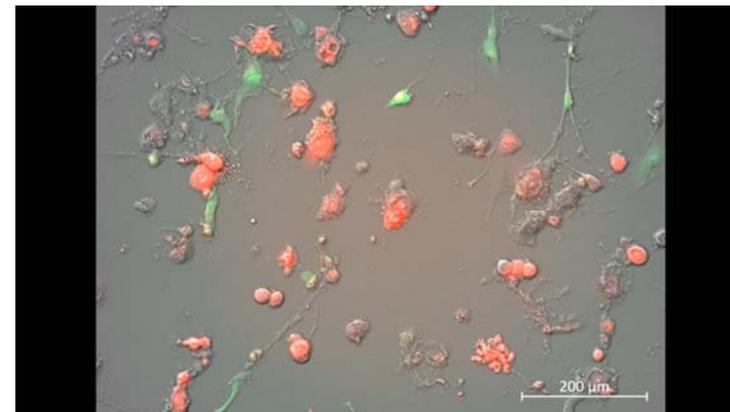
Oishi et al., *Mol Ther Methods Clin Dev.* 2022



がん細胞 + SHED-TK



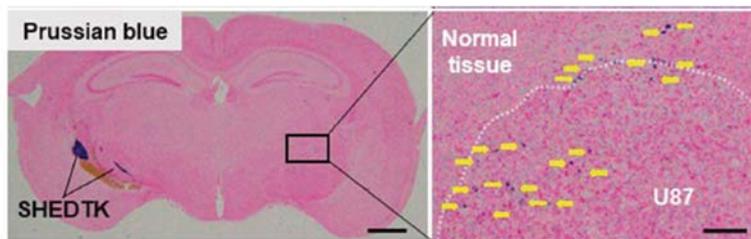
がん細胞 + SHED-TK + GCV



脳腫瘍モデルに対するSHED-TKの効果

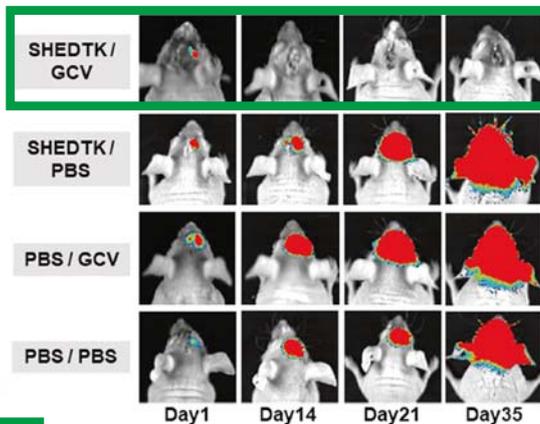
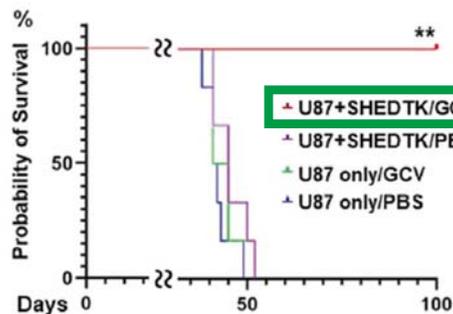
Potent bystander effect and tumor tropism in suicide gene therapy using stem cells from human exfoliated deciduous teeth

Makoto Horikawa¹, Shinichiro Koizumi¹, Tomoya Oishi¹, Taisuke Yamamoto¹, Masashi Ikeno², Masahiko Ito³, Tomohiro Yamasaki¹, Shinji Amano⁴, Tetsuro Sameshima¹, Yasuyuki Mitani⁵, Yoshihiro Otani⁶, Yuanqing Yan⁷, Tetsuro Suzuki³, Hiroki Namba⁸ and Kazuhiko Kurozumi^{1,3}



グリオーマを埋植した脳の反対側に投与したSHED-TKが、グリオーマに向かって遊走・集積した

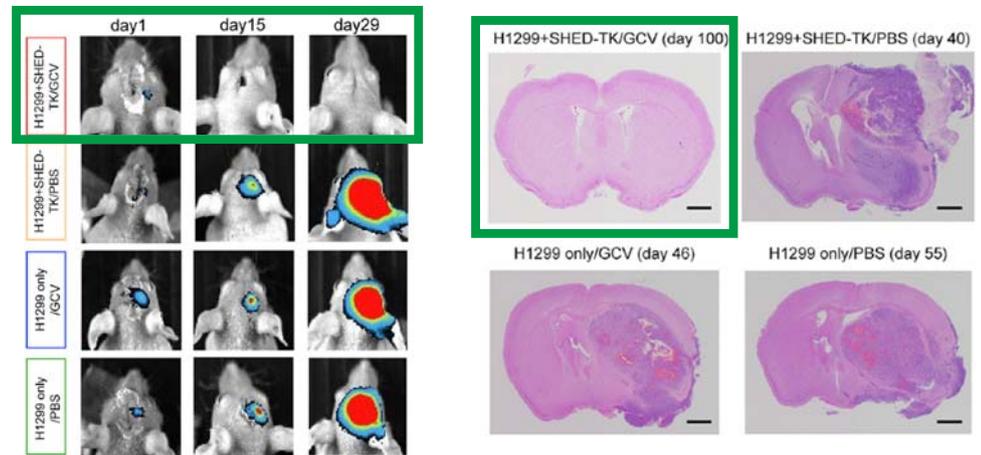
SHED-TKとGCVを投与することでグリオーマは消滅し、全例生き残った



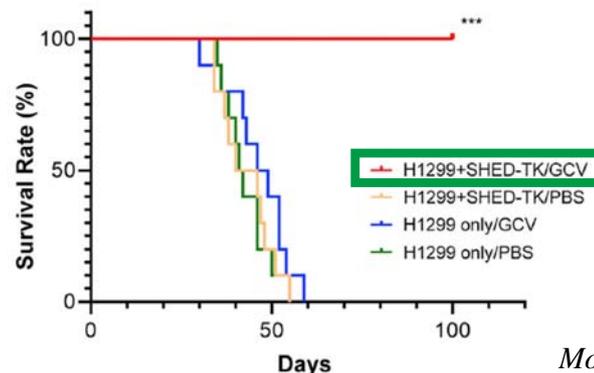
Cancer Gene Ther. 2022

Efficacy of HSV-TK/GCV system suicide gene therapy using SHED expressing modified HSV-TK against lung cancer brain metastases

Tomoya Oishi¹, Masahiko Ito², Shinichiro Koizumi¹, Makoto Horikawa¹, Taisuke Yamamoto¹, Satoru Yamagishi^{3,4}, Tomohiro Yamasaki¹, Tetsuro Sameshima¹, Tetsuro Suzuki², Haruhiko Sugimura⁵, Hiroki Namba⁶ and Kazuhiko Kurozumi¹



肺癌脳転移モデルにおいても、SHED-TKとGCVを投与することでがんは消滅し、全例生き残った



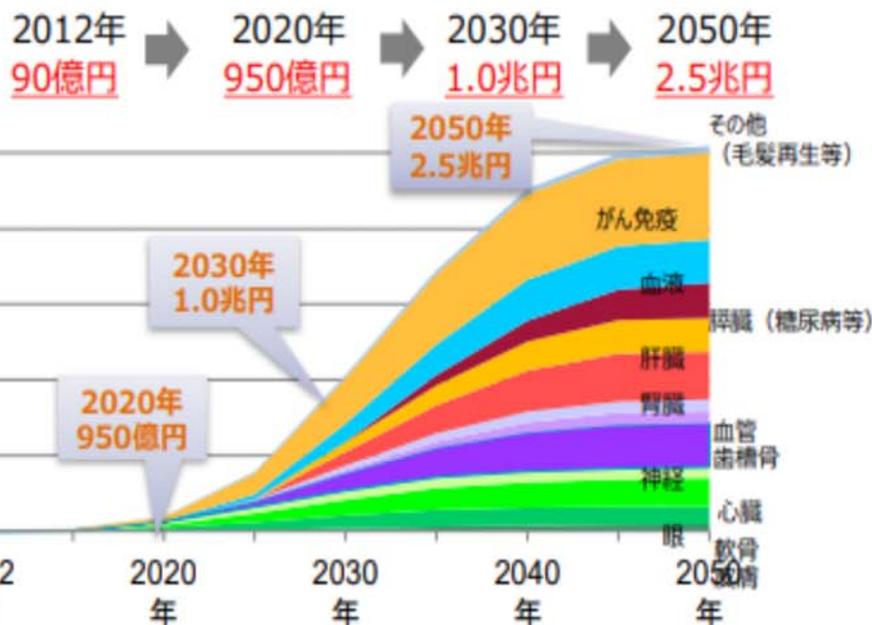
Mol Ther Methods Clin Dev. 2022

臨床応用に向け、さらなる研究開発を進めていく

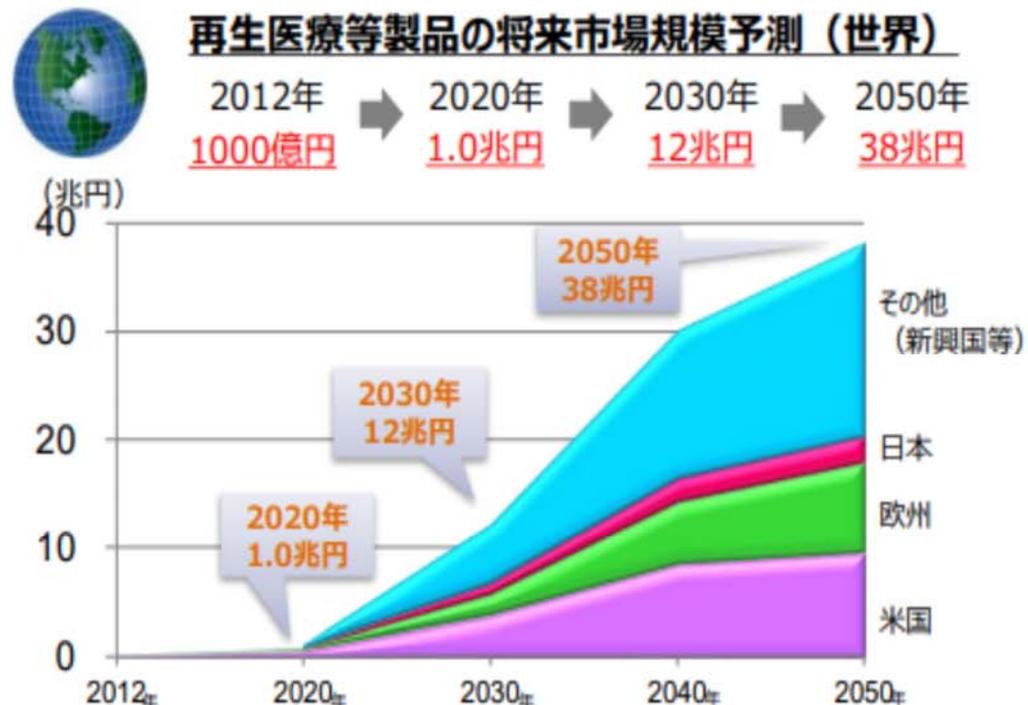
3. SHEDの市場ポテンシャル

再生医療等製品の市場規模（2050年） 日本：2.5兆円、グローバル：38兆円

再生医療等製品の将来市場規模予測（国内）

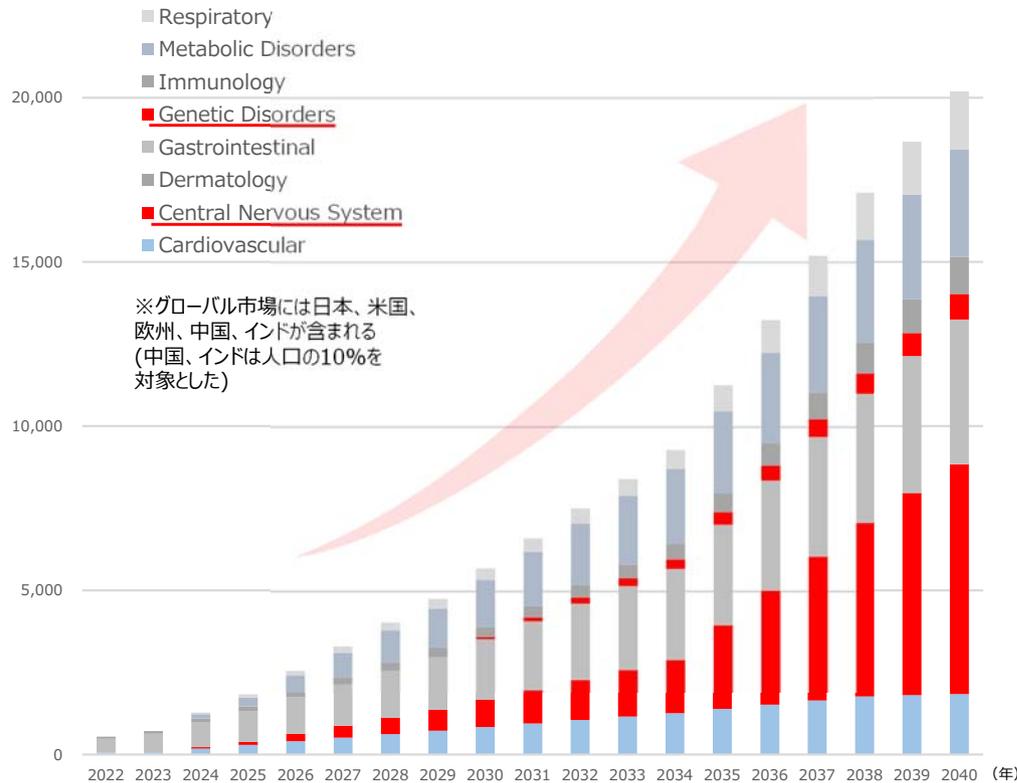


再生医療等製品の将来市場規模予測（世界）



神経系・筋骨格系：第一世代SHED

2040年には**7,000億~8,000億円規模**の市場に成長

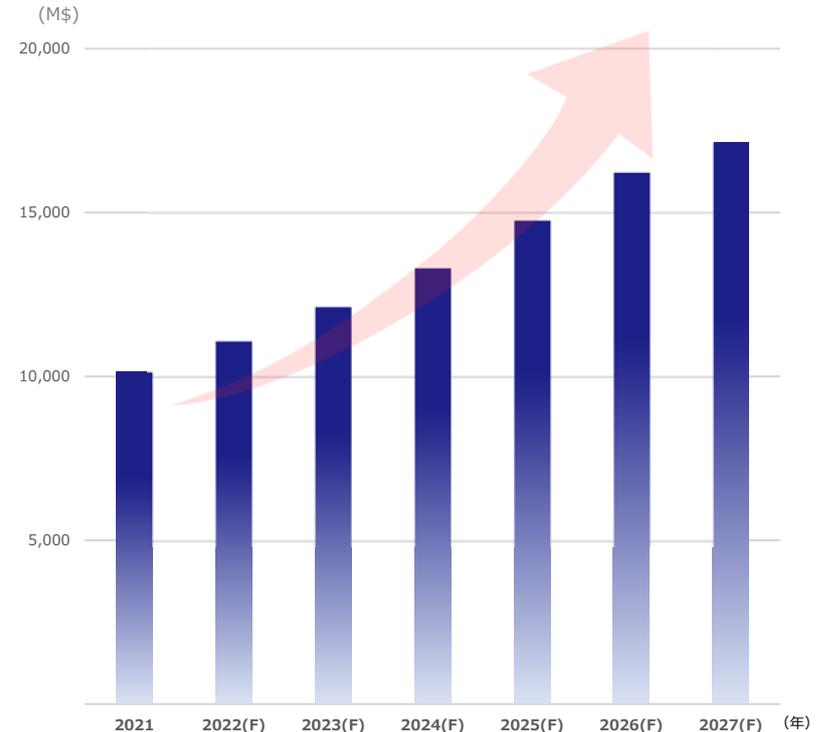


同種幹細胞の市場規模予測 (グローバル) ※1

※1: 「日本医療研究開発機構ホームページ 2019年度再生医療・遺伝子治療の市場調査 最終報告書」、 「GlobalData、疫学文献、希少疾患の情報サイト (Orphanet, NORD, 難病情報センター)」、 「Clinical Development Success Rates 2006-2015, BIO Industry Analysis」、 「中医協総会資料」を基に当社調べ

脳腫瘍 (がん)：第二世代SHED

- 2027年には市場全体で2兆円以上※3の規模に成長
- “遺伝子改変細胞医薬(デザイナー細胞)” はこれに加え、新たに**3500億円**※4の市場を生み出すと見込まれる



脳腫瘍への適用可能性のある製品の売上予測※2 (全モダリティ・全世界の総計、脳腫瘍以外の売上含む)

※2: Global Data社 (2022年以降の数値は予測値(F))

※3: 1USD=145円

※4: 新規がん患者に占める脳腫瘍の割合 1.4% (CA Cancer J Clin 2015;65:5-29), 細胞医薬モダリティのシェア率10%と仮定し算出 (当社独自の予測)

4. ビジョンの実現に向けて

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



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



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。