



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-



証券コード：4584

# 2025年度 細胞治療事業R&Dミーティング

2026年1月28日

キッズウェル・バイオ株式会社



# Agenda

目次

- ◆ 当社グループの成長戦略  
キッズウェル・バイオ 代表取締役社長 紅林 伸也
- ◆ SQ-SHEDを用いた細胞医薬の開発状況  
キッズウェル・バイオ 取締役  
兼 子会社S-Quatre 代表取締役社長 三谷 泰之
- ◆ Q&A

# 当社グループの成長戦略

バイオシミラー事業で安定的な収益を確保し、中長期的な成長に向けた研究開発投資を推進

**Kidswell.Bio**

バイオシミラー事業

安定的な収益基盤

(ミドルリスクミドルリターン型収益モデル)

**S-Quatre**

細胞治療事業（再生医療）

飛躍的な成長基盤

(ハイリスクハイリターン型収益モデル)



*Power of child's stem cells to fight incurable diseases*

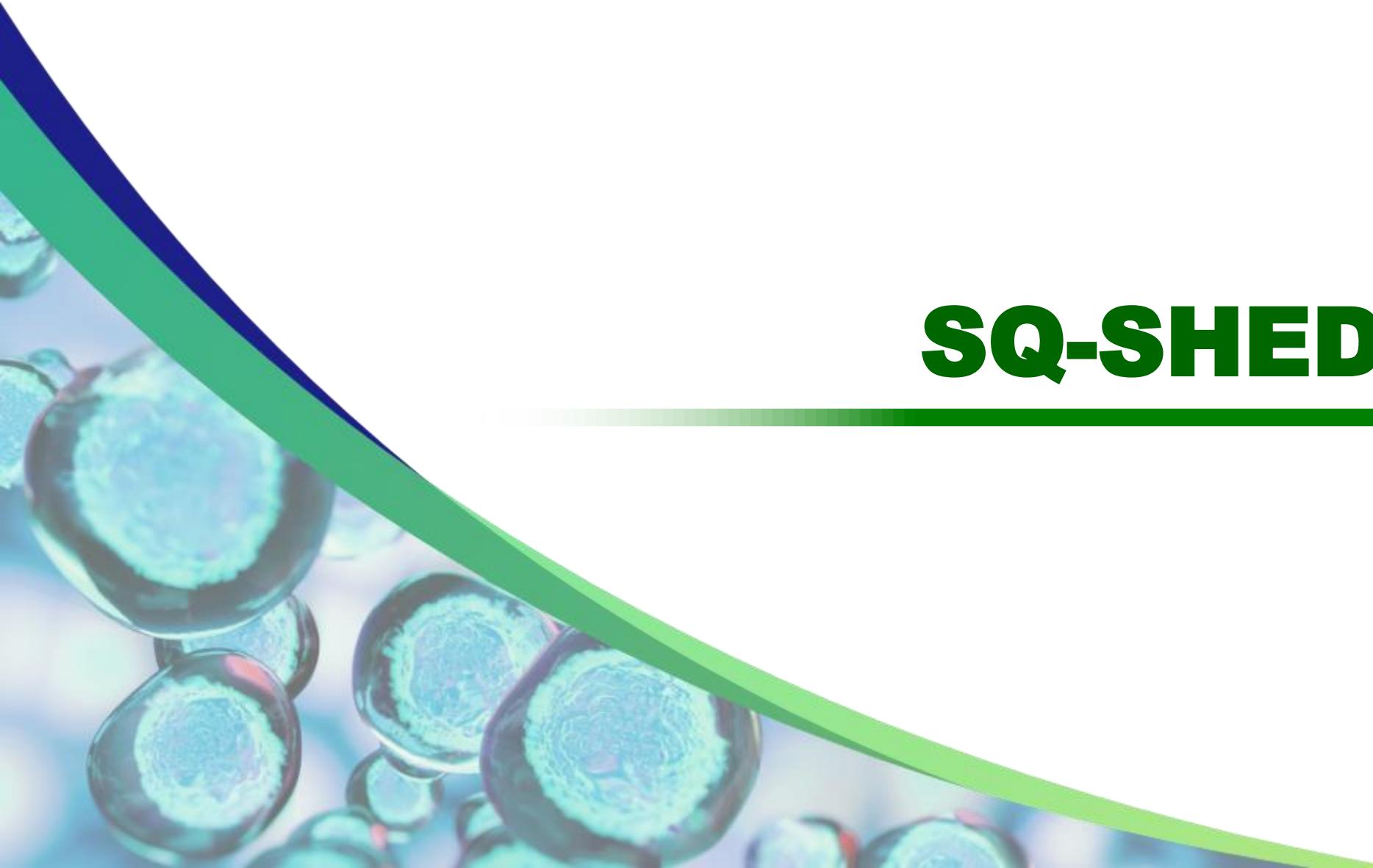
# SQ-SHEDを用いた細胞医薬の開発状況

– 脳性麻痺の研究開発アップデート & 大量細胞製造法の開発 –

**SHED: Stem Cells from Human Exfoliated Deciduous teeth**  
(ヒト脱落乳歯由来幹細胞)

株式会社S-Quatre  
キッズウェル・バイオ グループ

# SQ-SHEDの基本情報



# SQ-SHEDは3つの要素からなる当社独自のユニークな細胞

S-Quatre



- ・若い組織（乳歯歯髄）
- ・増殖が速く、かつ分裂可能回数が多い
- ・安定したドナー登録システムを確立

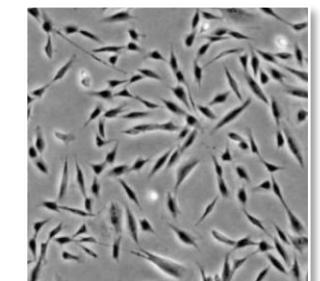
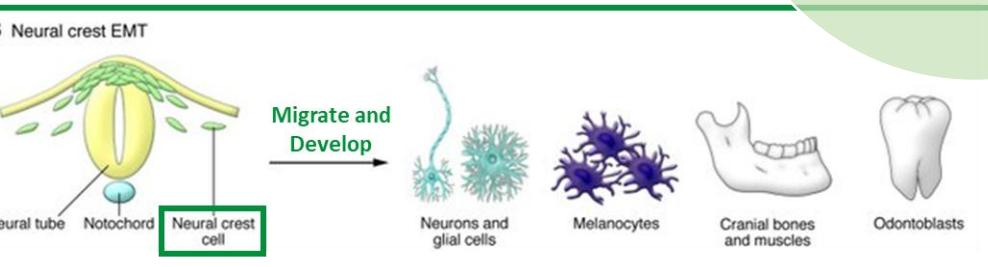
[1]小児ドナー

[2]外胚葉系

[3]SQ製法

## SQ-SHED

- 細胞の増殖が速い(早く増やせる)
- 分裂可能回数が多い(多く増やせる)
- 神経成長・血管新生因子の産生量が特に多い



# 多岐によるSQ-SHEDの応用可能性

S-Quatre

## 中枢神経

- 脳梗塞<sup>3)</sup>
  - 外傷性脳損傷<sup>4)</sup>
  - 脊髄損傷<sup>1,4)</sup>
  - 多発性硬化症<sup>1)</sup>
  - 筋萎縮性側索硬化症(ALS)
  - 脳腫瘍<sup>1)</sup>
- など

## 小児神経筋疾患

- 脳性麻痺<sup>1,2)</sup>
  - 脊髄性筋萎縮症(SMA)
  - 白質ジストロフィー
  - ミトコンドリア病
  - ライソゾーム病
- など

## 呼吸器

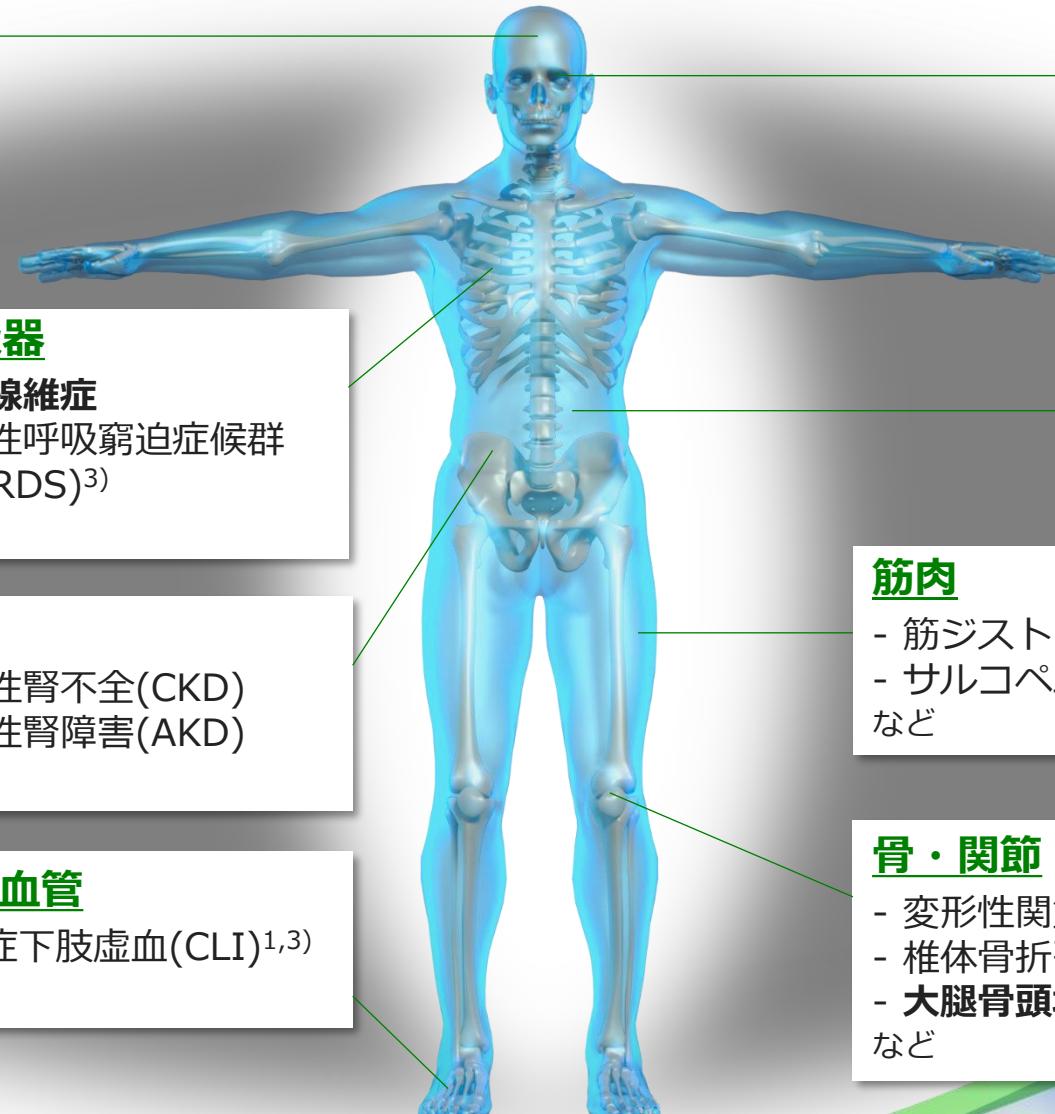
- 肺線維症
  - 急性呼吸窮迫症候群(ARDS)<sup>3)</sup>
- など

## 腎

- 慢性腎不全(CKD)
  - 急性腎障害(AKD)
- など

## 末梢血管

- 重症下肢虚血(CLI)<sup>1,3)</sup>
- など



## 眼

- 緑内障<sup>1)</sup>
  - 外傷性視神経損傷<sup>1)</sup>
- など

## 消化管

- 移植片対宿主病(GvHD)<sup>4)</sup>
  - 腸管神経疾患<sup>1)</sup>
  - 腹膜播種<sup>1)</sup>
- など

## 筋肉

- 筋ジストロフィー<sup>3)</sup>
  - サルコペニア
- など

## 骨・関節

- 变形性関節症(OA)<sup>3)</sup>
  - 椎体骨折<sup>3)</sup>
  - 大腿骨頭壊死<sup>1)</sup>
- など

1) SQ-SHEDでモデル動物への効果確認済み

2) SQ-SHEDで臨床試験実施中

3) 他のMSCで臨床効果確認の報告あり

4) 他のMSCで日 and/or 米で承認済み(条件付き承認含む)

# SQ-SHEDの開発パイプライン

**S-Quatre**

開発品	対象疾患	開発ステージ			共同研究・提携先
		探索研究	前臨床	臨床試験	
<b>SQ-SHED</b>	脳性麻痺（遠隔期） 開発コード：GCT-103			↗	名古屋大学  NAGOYA UNIVERSITY 持田製薬株式会社 
	先天性腸管神経疾患 開発コード：GCT-102		↗		九州大学  持田製薬株式会社 
	大腿骨頭壊死症 開発コード：SQ-104		↗		獨協医科大学  Dokkyo Medical University 
遺伝子改変 <b>SQ-SHED</b>	脳腫瘍 (変異型チミジンキナーゼ)		↗		浜松医科大学  Hamamatsu University School of Medicine
	脊髄損傷 (Gene X)		↗		名古屋大学  NAGOYA UNIVERSITY

## その他の応用可能性

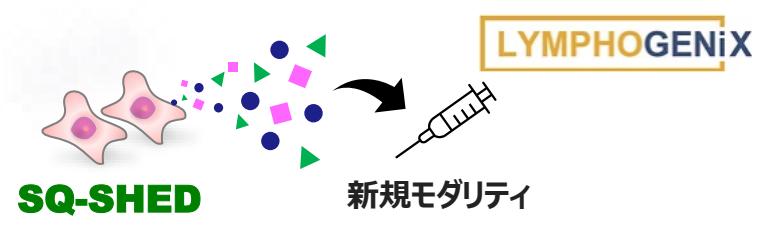
腫瘍溶解性ウイルスのデリバリーシステムとして  
(適応：がん)



制御性T細胞医薬の製造強化ツールとして  
(適応：自己免疫疾患、臓器移植)



エクソソーム、ミトコンドリア等、新規モダリティ製品の原料として (適応：多岐、不妊症など)

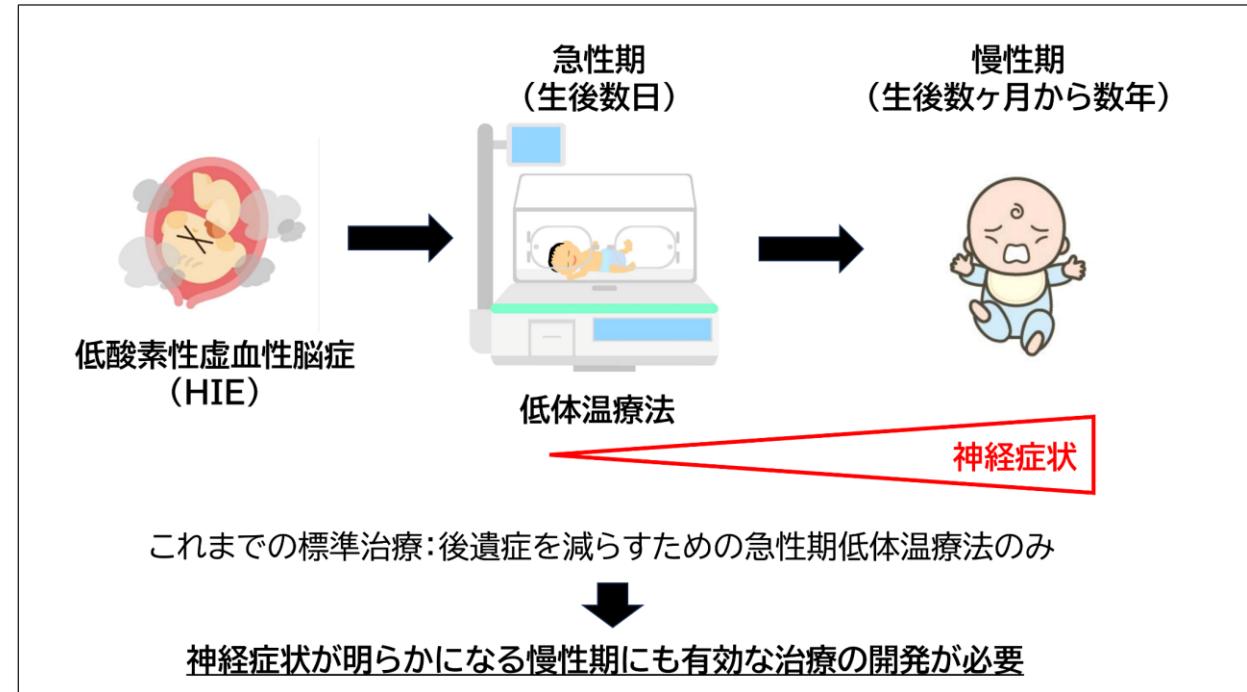
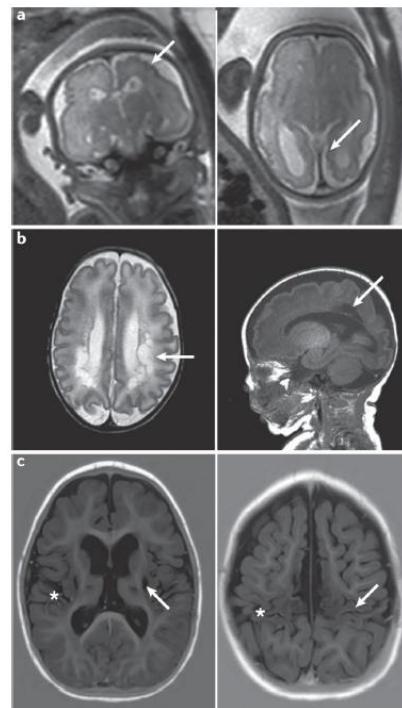




# 脳性麻痺適応 の開発状況

受胎から新生児期までの間に生じた脳の非進行性病変に基づく永続的なしかし変化しうる運動および姿勢の異常<sup>※1</sup>

- ・発生率：出生約500人に1人
- ・国内患者数：7.8万人（うち2.4万人は18歳未満）<sup>※2</sup>
- ・日米欧患児数：24万人（10歳以下）<sup>※3</sup>
- ・運動障害の改善を目的として確立された治療法はない
- ・乳児期には診断が難しく、幼児期以降に発達遅滞が明らかになることで、脳性麻痺と診断されることが多い



出生直後（急性期）	遠隔期（慢性期）
<b>低体温療法</b> ：新生児仮死など低酸素性虚血性脳症(HIE)が疑われる児が対象。効果は十分でない <b>早産児に多い脳室周囲白質軟化症(PVL)</b> は対象外	<b>各種リハビリテーション</b> ：効果は十分でない <b>ボツリヌストキシン療法</b> ：痙攣の緩和を目的として行われるが、効果は一過性

Graham et al. *Nat Rev Dis Primers.* 2022

※1: 1968年の厚生省脳性麻痺研究班会議で定められた定義

※2: 内閣府公表値

※3: GlobalData社推定値



配布先：文部科学記者会、科学記者会、名古屋教育記者会

報道機関 各位

## S-Quatre

2026年1月26日

国立大学法人東海国立大学機構名古屋大学  
株式会社 S-Quatre

### 脳性麻痺慢性期に対する ヒト乳歯歯髄幹細胞(SHED)の静脈内投与の治療有効性評価 ～治療が困難とされてきた慢性期脳障害に、新たな希望を～

#### 【研究概要】

名古屋大学大学院医学系研究科小児科学の神澤孝洋客員研究者(筆頭著者)、名古屋大学医学部附属病院総合周産期母子医療センターの佐藤義朗センター長/小児科 診療教授(責任著者)、同大学大学院医学系研究科小児科学の高橋義行教授らの研究グループは、株式会社 S-Quatre との共同研究により、周産期低酸素性虚血性脳症(HIE<sup>\*5</sup>)に起因する脳性麻痺モデル動物において、神経症状が顕在化した慢性期からの治療介入でも、ヒト乳歯歯髄幹細胞(SHED)投与が有効性を示すことを世界で初めて体系的に実証しました。

## Stem Cell Research & Therapy

<https://doi.org/10.1186/s13287-025-04828-y>

Article in Press

### Novel stem cell therapy for cerebral palsy using stem cells from human exfoliated deciduous teeth

Received: 5 February 2025

Accepted: 19 November 2025

Published online: 23 January 2026

Cite this article as: Kanzawa T, Onoda A,

Takahiro Kanzawa, Atsuto Onoda, Azusa Okamoto, Xu Yue, Ryoko Shimode, Yukina Takamoto, Sakiko Suzuki, Kazuto Ueda, Ryosuke Miura, Toshihiko Suzuki, Naoki Tajiri, Shinobu Shimizu, Saho Morita, Hiroshi Yukawa, Hiroshi Kohara, Noritaka Fukuda, Yasuyuki Mitani, Hideki Hida, Yoshiyuki Takahashi & Yoshiaki Sato

名古屋大学との共同研究成果が、Top10%ジャーナル\*の  
**Stem Cell Research & Therapy**誌に掲載

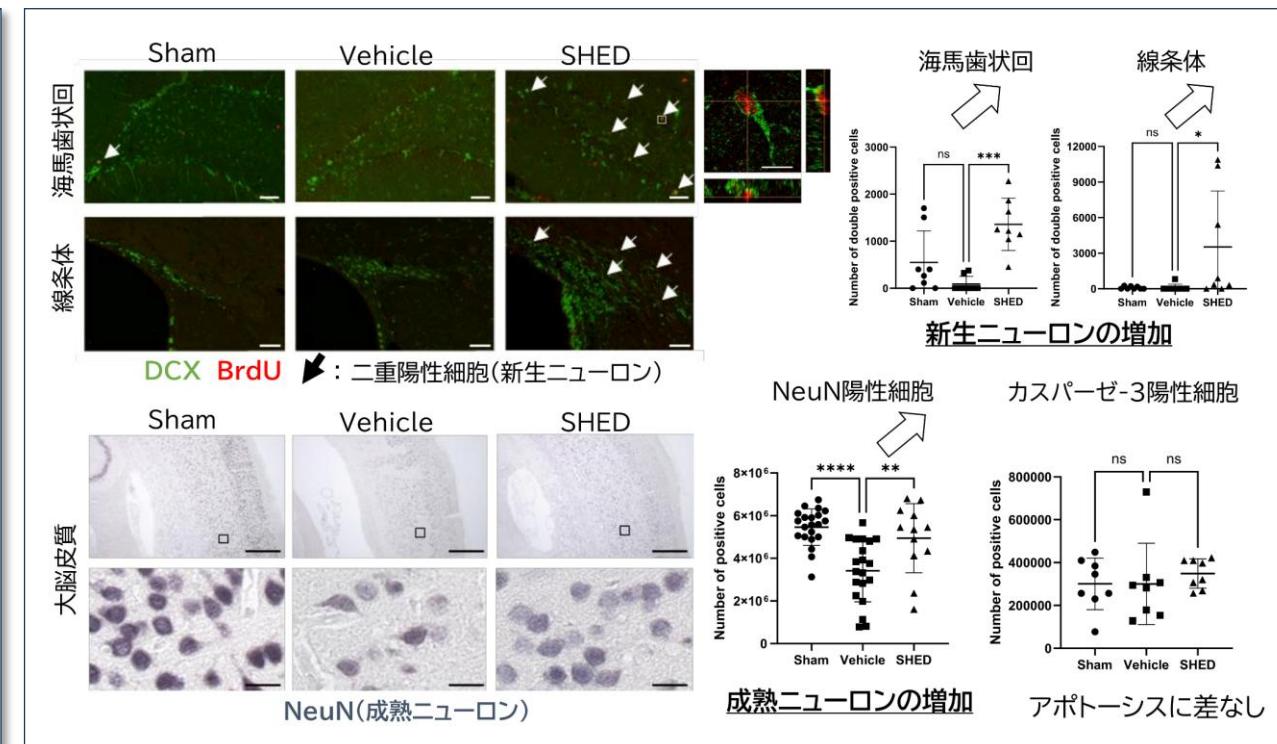
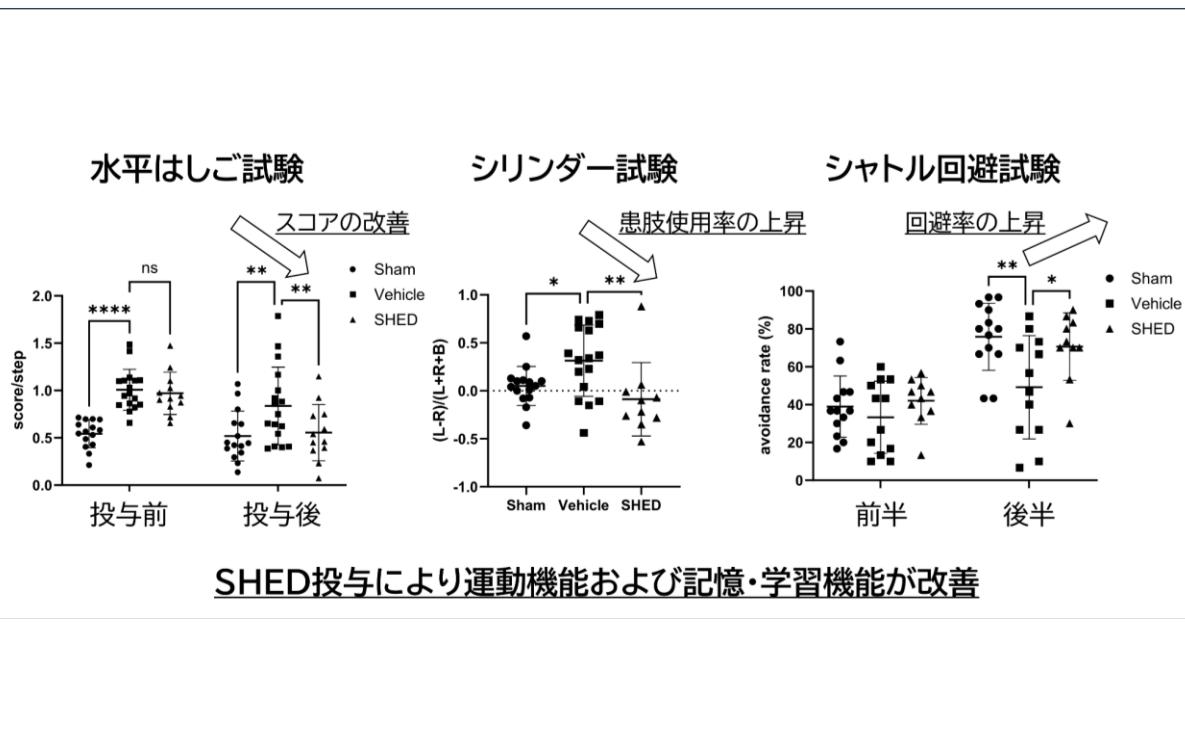
# 名古屋大学との共同研究成果（基礎研究）

※名古屋大学との共同プレスリリースより

**S-Quatre**



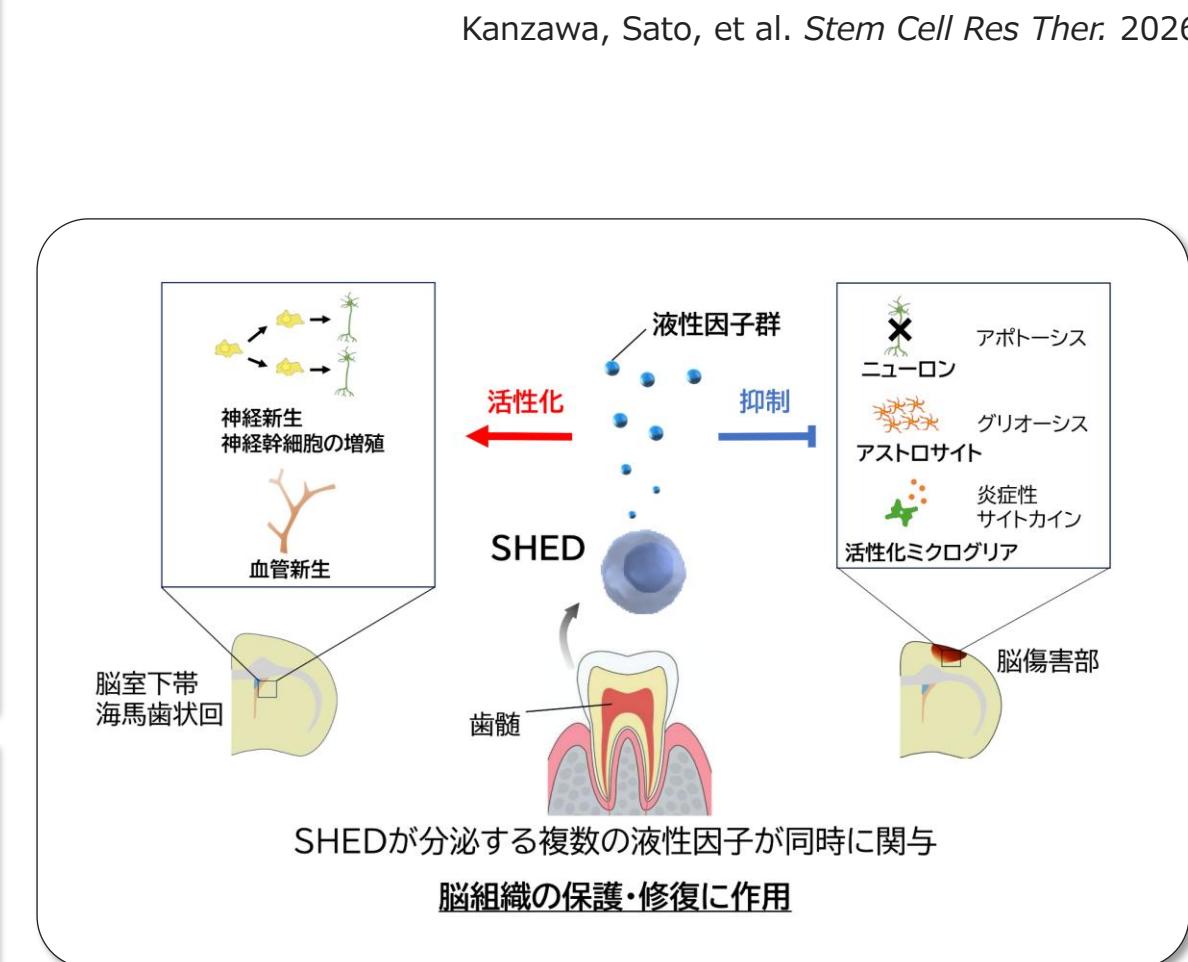
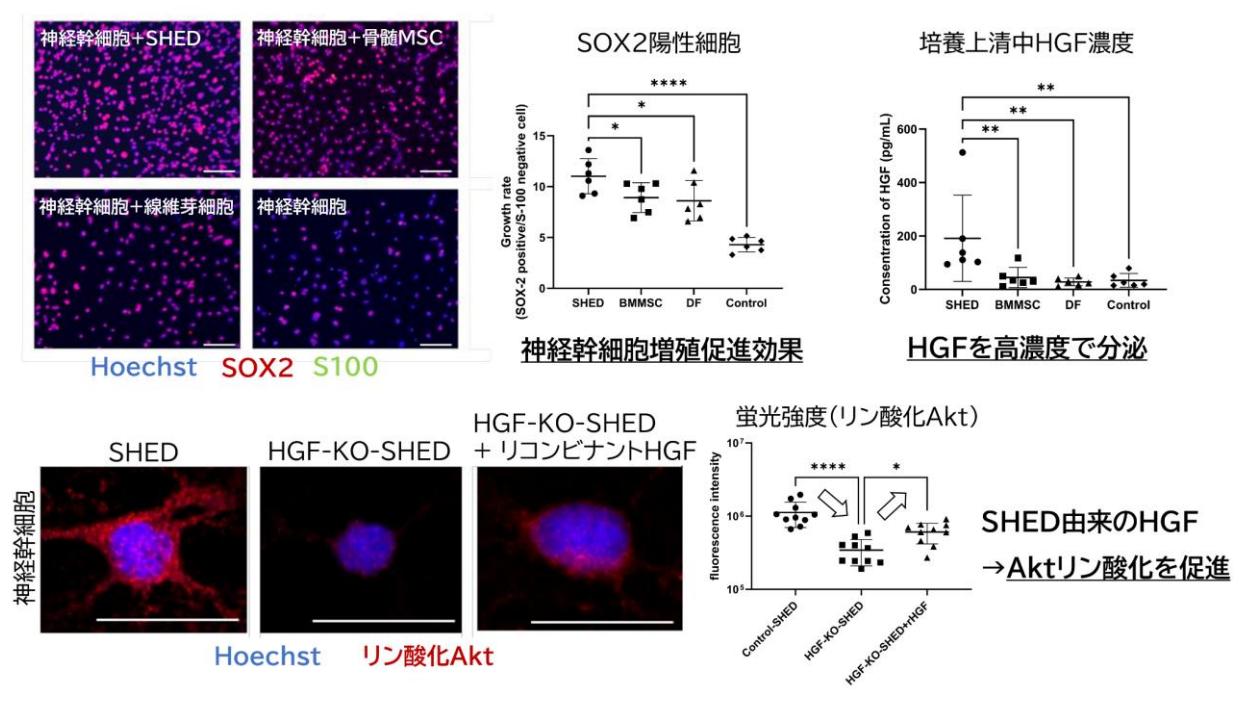
Kanzawa, Sato, et al. *Stem Cell Res Ther.* 2026



# 名古屋大学との共同研究成果（基礎研究）

※名古屋大学との共同プレスリリースより

**S-Quatre**



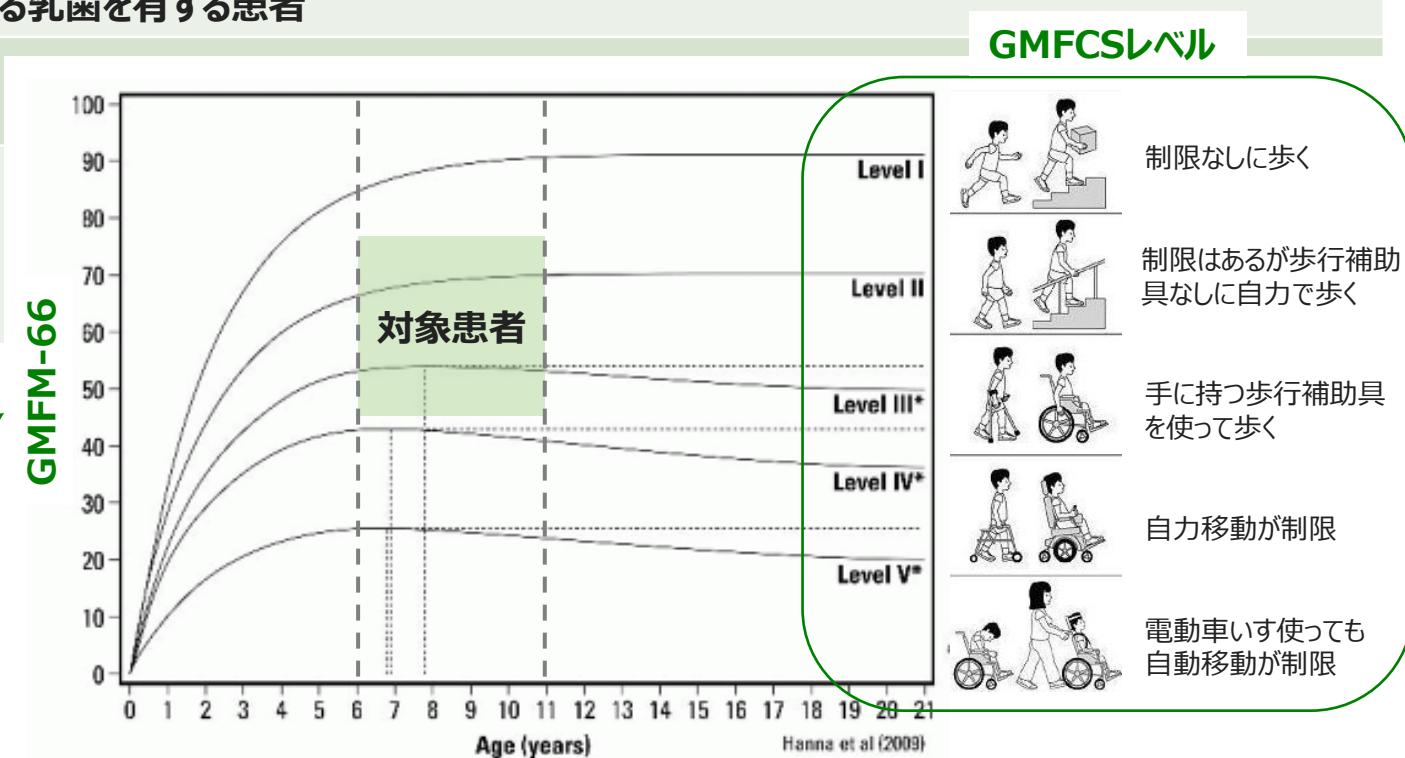
量子ドット標識SHEDの検出により脳内移行を確認

# 名古屋大学にて実施中の脳性麻痺臨床研究の概要

S-Quatre

## 研究概要

研究の名称	脳性麻痺児に対する自己乳歯歯髄幹細胞単回投与の安全性、忍容性を検討する臨床試験
試験デザイン	単一群（3名）、非盲検
投与量、投与方法	$3 \times 10^6 \text{ cells/kg}$ (静脈内、単回、点滴投与)
主たる選択基準	<ul style="list-style-type: none"><li>- 脳性麻痺と診断を受けている6歳～11歳の患者</li><li>- 新生児低酸素性虚血性脳症（HIE）と診断された患者</li><li>- GMFCS<sup>※1</sup>レベルⅡ又はⅢである患者</li><li>- 永久歯の萌出時期が近いことを確認できる乳歯を有する患者</li></ul>
主たる評価項目	投与1日後、3日後、2週後、4週後の有害事象の有無
副次的な評価項目	投与12週後、24週後、52週後の安全性および有効性 <ul style="list-style-type: none"><li>- 運動機能評価（GMFM-66<sup>※2</sup>）</li><li>- 筋緊張評価（MAS<sup>※3</sup>）など</li></ul>



※1 Gross Motor Function Classification System

※2 Gross Motor Function Measure-66

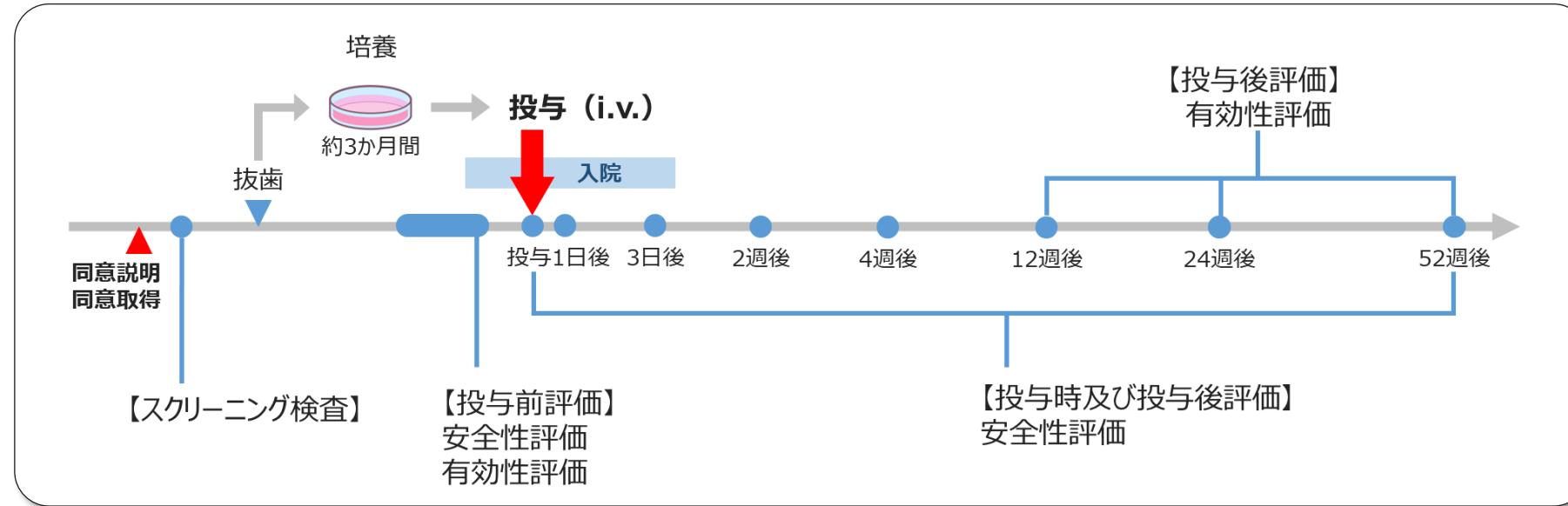
※3 Modified Ashworth Scale

# 脳性麻痺臨床研究の中間解析結果（投与12週間後）

S-Quatre

Maeda, Sato, et al. Stem Cell Res Ther. under review

## 研究フロー



## 患者情報

Case No.	Case 1	Case 2	Case 3
年齢 (投与時)	8歳1か月	6歳10か月	8歳1か月
GMFCS レベル (ベースライン)	III	III	III
出生時低体温療法 の受療	なし	有	なし

## 結果（安全性）

Case No.	有害事象	発生時期	重症度	転帰
1	嘔吐	Day 1	Grade 1	回復
1	急性胃腸炎	Day 17	Grade 1	回復

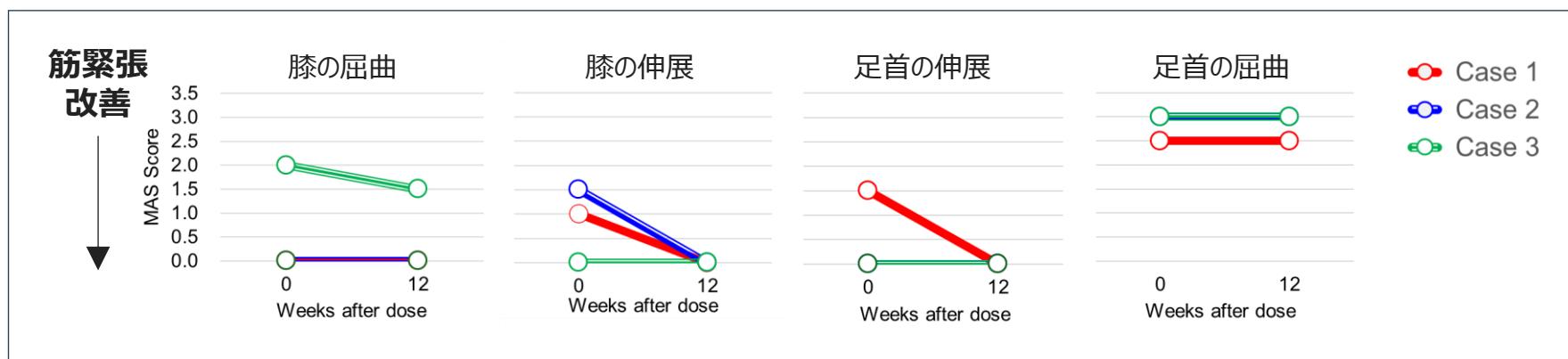
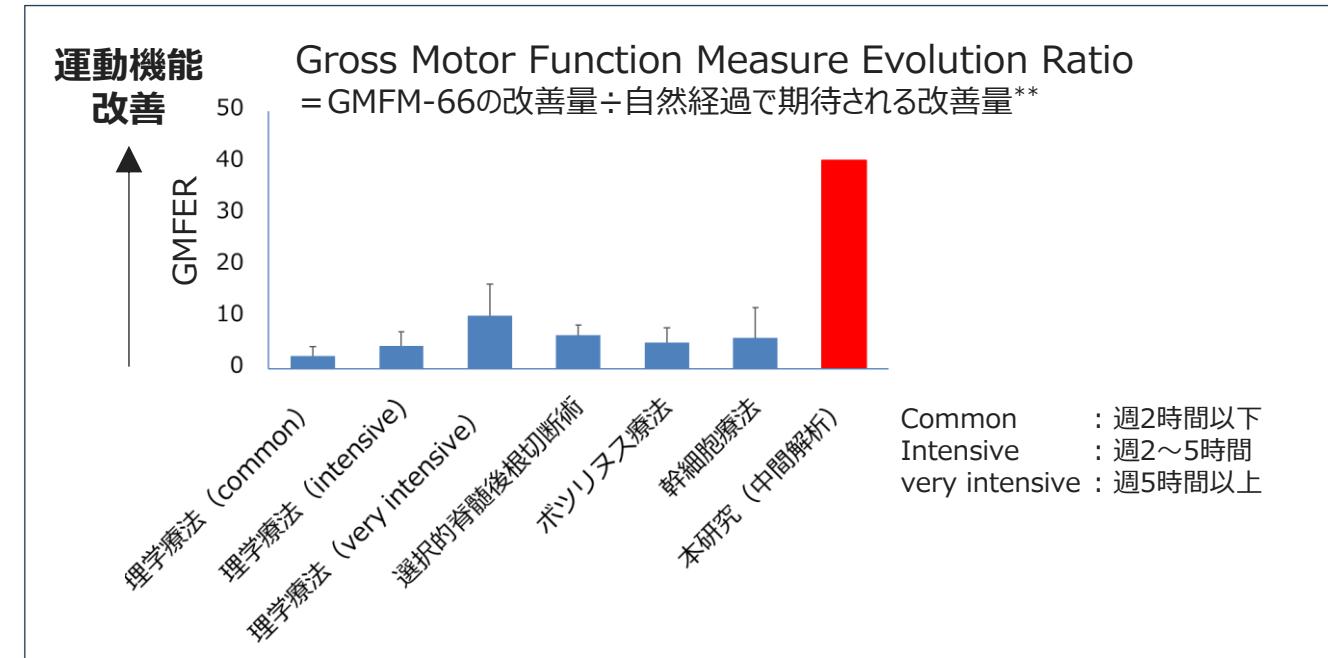
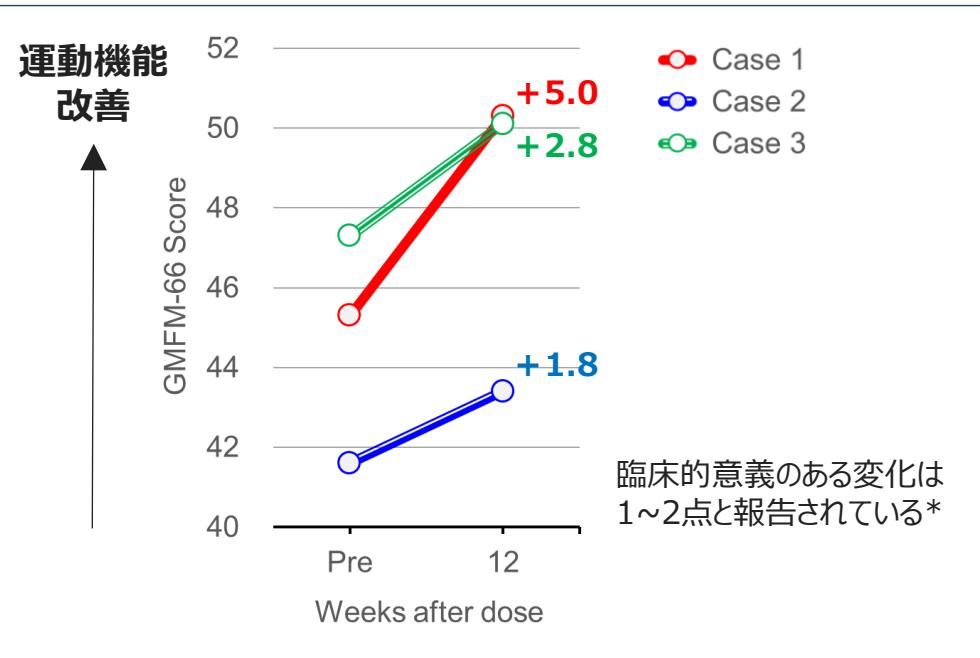
投与後12週までに投与と関連する有害事象なし

# 脳性麻痺臨床研究の中間解析結果（投与12週間後）

S-Quatre

## 結果（有効性）

Maeda, Sato, et al. *Stem Cell Res Ther.* under review



運動機能および筋緊張の改善を示唆する結果が得られた

## 医師/理学療法士の声



- 運動機能が全般的に良くなっている
- 特に歩行が良くなっている
- 体幹が安定してきた
- 立っている時の姿勢、ダイナミックな動き、協調的な動きも良くなっている
- 筋肉がやわらかくなってきてできることが増えたようだ

- 可動域が上がった
- 歩くのが上手になった
- 新たな動きも経験をすればやれる事が増えてくると思う

## 患児本人 の声

- 歩行器で自由に歩けるのがうれしい
- ユーチューブの操作、マリオカートが自分でできるのがうれしい

- 歩行が良くなった気がする
- 表情が豊かになり、愛想が良くなつた

- 移動が速くなった
- 2秒位立てるようになった
- 言葉を発するようになった
- よく笑うようになった
- 他人に対しての愛想がよくなつた。フレンドリーになつた

- つかまり立ちで手とおなかを離して立てるようになった
- 言葉が増えた。明らかに前とは違う。語尾までしっかりとと言うようになった
- 聞いた言葉を反復するようになった
- エレベーターが到着したら『ピンポーン』と真似して言うようになった

## ご家族の声



## 自家SQ-SHED臨床研究

Case 1 : 観察期間終了（最終52週までの安全性・有効性評価完了）

Case 2 : 観察期間終了（最終52週までの安全性・有効性評価完了）

Case 3 : 24週までの安全性・有効性評価完了

3症例目の最終52週の評価（2026年6月予定）完了後、データ解析を行い、2026年内に名古屋大学より公表見込み

## 同種SQ-SHED (GCT-103) 企業治験

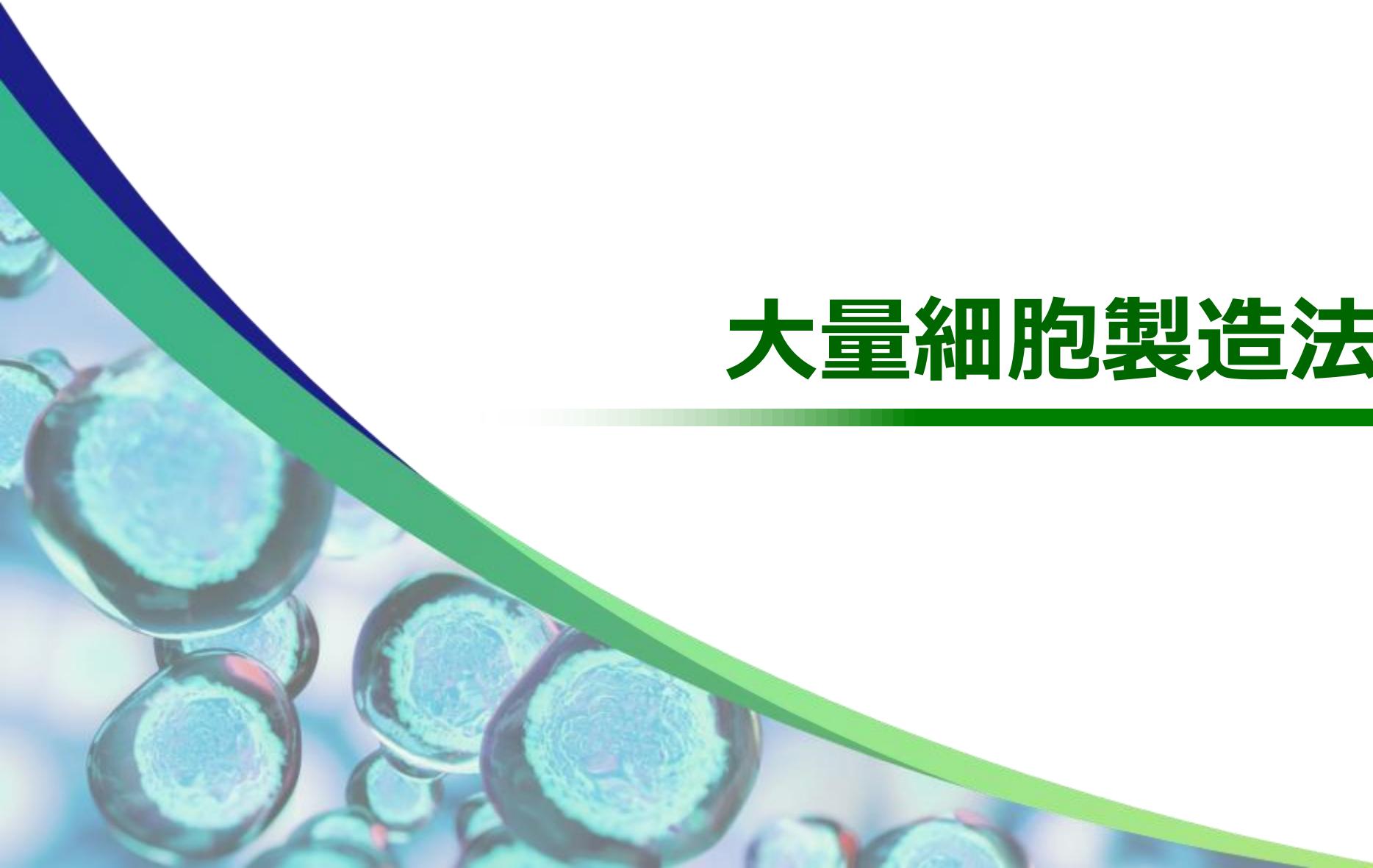
持田製薬株式会社と共に、治験開始に向けた準備を進行中

- ・ 非臨床試験：GLP一般安全性試験完了、その他の試験進行中
- ・ 治験薬製造：試製造完了、GMP製造準備中

全ての試験・準備が完了次第、治験届提出予定



# 大量細胞製造法の開発状況



# 培地還流型次世代大量平面培養システムの採用

S-Quatre

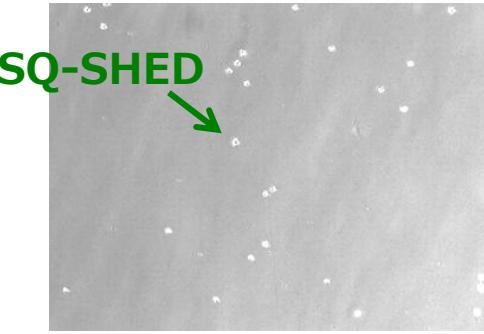
		従来の開放型 片面多層フラスコ	マイクロキャリアを用いた バイオリアクター攪拌培養	培地還流型 両面超多層システム
細胞自体 への影響	攪拌ストレス	○ (攪拌なし)	✗ (攪拌あり)	○ (攪拌なし)
	品質の均一性	△ (処理時間の フラスコ間差等)	△ (細胞密度の ビーズ間差等)	○
	研究用細胞からの形質変化	○ (リスク低い)	△ (リスクあり)	○ (リスク低い)
製造上の 効率性・ 頑強性	閉鎖系 (無菌性)・自動制御	✗	○	○
	リアルタイム細胞観察	○	✗	○
	培地使用量・作業負荷	✗ (多い)	○ (少ない)	○ (少ない)
	大規模化	✗	○	○
	MSCの製造実績	○	○	△

システムを開発したCorning社と協力関係を構築し、SQ-SHED用に製造工程の最適化に成功

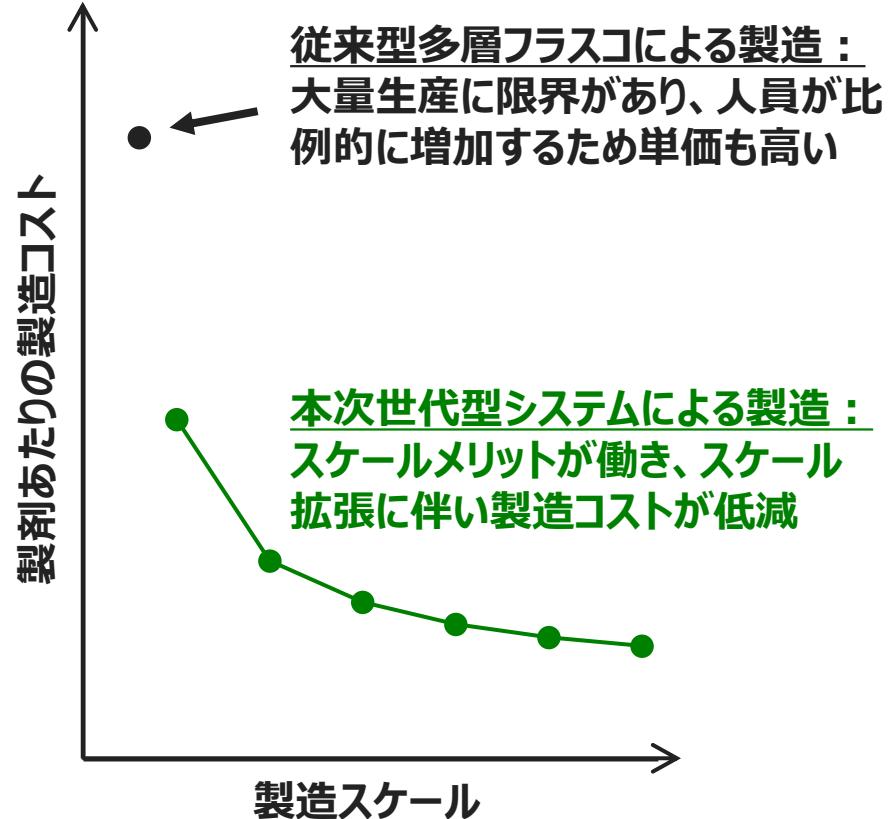
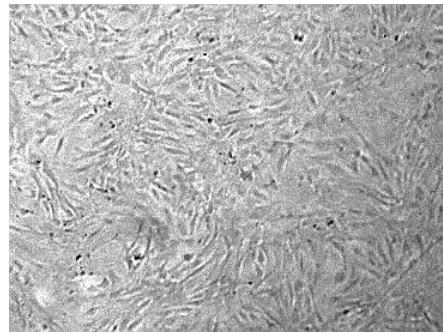
# 培地還流型次世代大量平面培養システムの採用

S-Quatre

播種時



回収時



Corning - Effective Manufacturing of Allogeneic Mesenchymal Stem Cells Using a Scalable Closed-system Circulation Platform

May 8, 2025 10:15 AM-10:45 AM CT

Share session

Global Showcase...

Global Showcase Theater B

S-Quatre is enhancing the scalability of SHED (Stem Cells from Human Exfoliated Deciduous Teeth) manufacturing to meet commercial production targets, requiring the generation of billions to trillions of cells per batch. Traditional stacked vessel technology poses challenges in space and labor efficiency, leading to the exploration of Corning's circulation-based CellCube® system. Our data demonstrated that the CellCube system achieves comparable cell density, population doubling time, and MSC marker expression to legacy Corning® CellSTACK® vessels while offering high scalability and reducing media consumption. This approach effectively addresses scalability challenges and lowers production costs, paving the way for commercial-scale manufacturing.

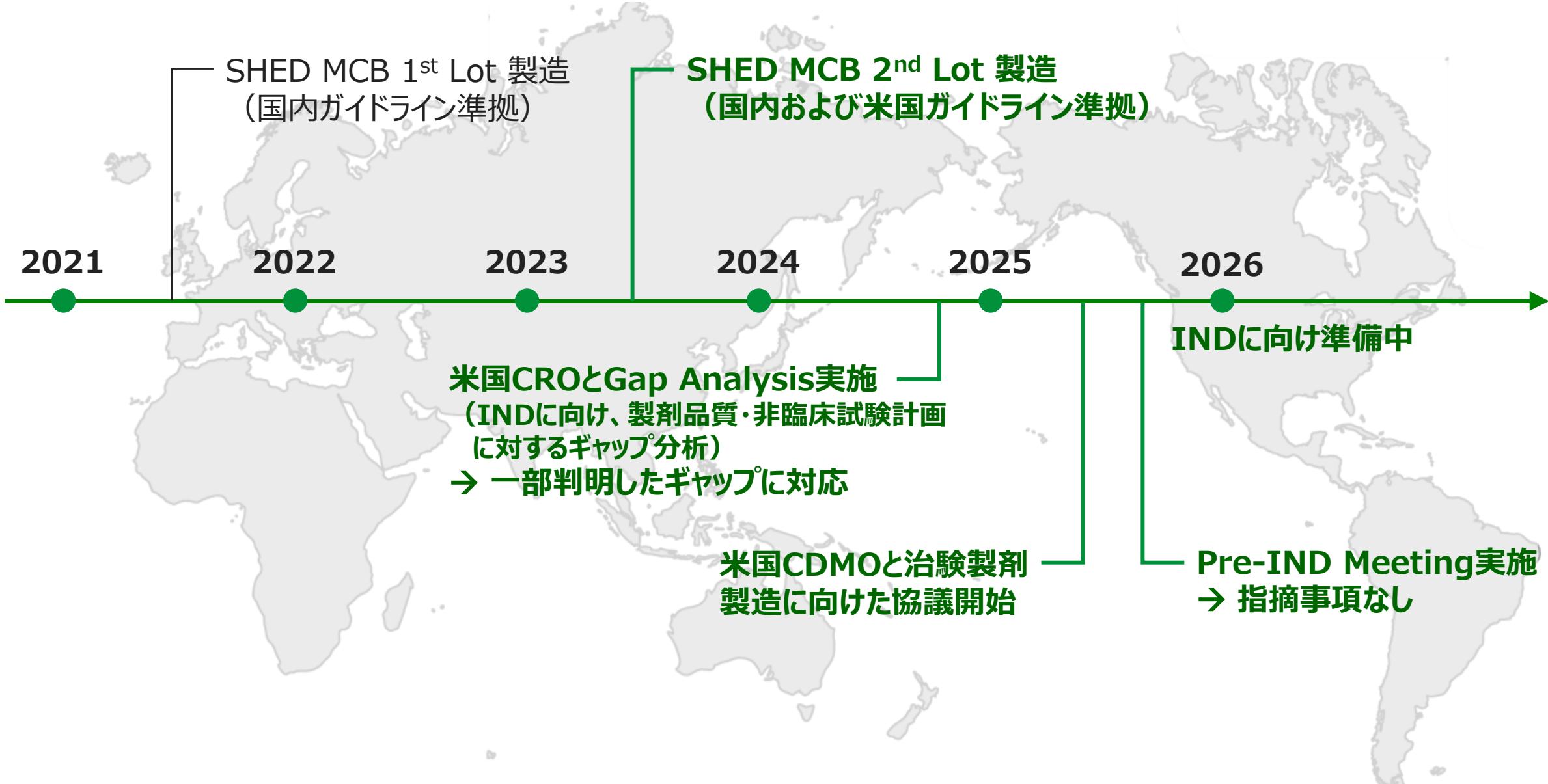
#### Session Objectives:

- Exploring an alternative method for scaling cell therapies using a circulation-based process
- Circulation-based manufacturing process maintains similar cell characteristics to static cell expansion
- Circulation-based process helps optimize manufacturing costs while enhancing scalability



Masashi Yamada  
Director, Manufacturing Development Dept.  
S-Quatre Corporation

Corning社と協働し、2025年5月の国際細胞遺伝子治療学会(ISCT)で発表 → 国際的専門家より大きな反響  
(2026年3月の再生医療学会でも紹介予定)



# S-Quatre

*Power of child's stem cells to  
Fight incurable diseases*

# Q & A

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。