

令和7年度「創薬ベンチャーエコシステム強化事業／創薬ベンチャー公募」中間評価（2）報告書

1. 中間評価を実施した課題

課題名	小児希少血液疾患に対する新規 ex vivo 増幅造血幹細胞治療製品の開発
研究開発機関	セレイドセラピューティクス株式会社
リード認定 VC	株式会社東京大学エッジキャピタルパートナーズ

2. 本課題の概要

本事業では、小児期に発症する重度・希少血液疾患に対し、新規造血幹細胞（HSC）治療製品「CLD-001」の米国での臨床 POC 取得を目指す。対象疾患の再生不良性貧血や原発性免疫不全症などは、HSC 移植以外に根治療法は存在しない。現行治療では、①移植後の生着不全による死亡、②骨髄ドナー不足、③移植後の重度 GvHD（移植片対宿主病）という大きな課題がある。

当社は、HSC のエピジェネティックな遺伝子発現制御に注目し、独自に見出した新規化学合成物により、長期骨髄生着能を持つ CD34+細胞を高純度かつ大量増幅する技術確立した。CLD-001 は、①移植後の生着不全による死亡リスクを減らし、また凍結さい帯血を細胞ソースとすることで②③課題も解決する製品である。現在、米国 CDMO にて製造工程の開発を進めており、GMP 製造・GLP 安全性試験を経て、米国で Phase1/2 試験実施を予定している。

3. 評価結果

ステージゲート通過

【評価コメント】 FDA との Pre-IND Meeting のリクエストが通っており、8 月に実施予定であることから、マイルストーンを達成見込みであると評価されました。更に、マウス薬理試験で訴求力のあるデータを得ていること、動物で複数のモデルでの有効性確認 安全性まで確認していること、細胞製造・CMC についても計画通り進捗していることもあわせてステージゲート通過と評価されました。なお、次ステージの開発計画については、Pre-IND Meeting の協議により修正を求められる可能性があります。実効性の高い計画で開発を進めるよう期待します。

以上