

令和8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 取得を目指します。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ません。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ります。

現行治療法の課題を解決するため、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を確立しました。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す。米国 CDMO にて製造工程の開発、GMP 製造・GLP 安全性試験を経て、米国で Phase1/2 試験を実施予定です。

3. 評価結果

ステージゲート通過

【評価コメント】 現ステージの目標として設定された製造工程の確立、技術移管、規制対応など達成の目途が立っていること、また次ステージの資金も調達済みであることから、ステージゲート通過と評価されました。今後、大型調達のシリーズ C に向けては、新規投資の呼び込みを含めて企業価値が最大化する活動、折衝を期待します。

以上