



## 平成27年12月期 決算短信〔日本基準〕（非連結）

平成28年2月10日

上場会社名 株式会社ヘリオス 上場取引所 東  
 コード番号 4593 URL <http://healios.co.jp/>  
 代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 鍵本 忠尚  
 問合せ先責任者 (役職名) 管理領域管掌取締役 (氏名) 松田 良成 (TEL) 03 (5777) 8308  
 定時株主総会開催予定日 平成28年3月25日 配当支払開始予定日 —  
 有価証券報告書提出予定日 平成28年3月28日  
 決算補足説明資料作成の有無：有  
 決算説明会開催の有無：有（アナリスト・機関投資家向け）

(百万円未満切捨て)

### 1. 平成27年12月期の業績（平成27年1月1日～平成27年12月31日）

#### (1) 経営成績

(%表示は対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
27年12月期	98	△64.9	△1,060	—	△987	—	△958	—
26年12月期	279	△44.0	△568	—	△470	—	△477	—

	1株当たり 当期純利益	潜在株式調整後 1株当たり当期純利益	自己資本 当期純利益率	総資産 経常利益率	売上高 営業利益率
	円 銭	円 銭	%	%	%
27年12月期	△25.60	—	△16.0	△14.5	△1,080.2
26年12月期	△14.33	—	—	—	—

(参考) 持分法投資損益 27年12月期 △5百万円 26年12月期 —百万円

- (注) 1. 当社は、平成26年12月期において連結財務諸表を作成していたため、平成26年12月期の自己資本当期純利益率、総資産経常利益率、売上高営業利益率については記載していません。  
 2. 潜在株式調整後1株当たり当期純利益は、潜在株式は存在するものの、1株当たり当期純損失であるため、記載していません。

#### (2) 財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	百万円	%	円 銭
27年12月期	10,487	9,377	89.3	230.53
26年12月期	3,171	2,664	83.1	78.23

(参考) 自己資本 27年12月期 9,370百万円 26年12月期 2,634百万円

#### (3) キャッシュ・フローの状況

	営業活動による キャッシュ・フロー	投資活動による キャッシュ・フロー	財務活動による キャッシュ・フロー	現金及び現金同等物 期末残高
	百万円	百万円	百万円	百万円
27年12月期	△167	△212	7,654	9,195
26年12月期	—	—	—	—

(注) 当社は、平成26年12月期において連結財務諸表を作成していたため、平成26年12月期のキャッシュ・フローの状況については記載していません。

### 2. 配当の状況

	年間配当金					配当金総額 (合計)	配当性向	純資産 配当率
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計			
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	百万円	%	%
26年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	—	—
27年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00	—	0.00	0.00
28年12月期(予想)	—	0.00	—	0.00	0.00	—	0.00	—

(注) 当社は、平成26年12月期において連結財務諸表を作成していたため、平成26年12月期の配当性向、純資産配当率については記載していません。

### 3. 平成28年12月期の業績予想（平成28年1月1日～平成28年12月31日）

平成28年12月期の業績予想につきましては、現時点で合理的な業績予想の算定ができないことから、記載していません。なお、当該理由等は、添付資料P.3「1. 経営成績・財政状態に関する分析（1）経営成績に関する分析③今後の見通し」をご覧ください。

※ 注記事項

(1) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更：無
- ② ①以外の会計方針の変更：無
- ③ 会計上の見積りの変更：無
- ④ 修正再表示：無

(2) 発行済株式数（普通株式）

- ① 期末発行済株式数（自己株式を含む）
- ② 期末自己株式数
- ③ 期中平均株式数

27年12月期	40,646,000株	26年12月期	33,677,000株
27年12月期	－株	26年12月期	－株
27年12月期	37,423,408株	26年12月期	33,295,547株

※ 監査手続の実施状況に関する表示

この決算短信は、金融商品取引法に基づく監査手続の対象外であり、この決算短信の開示時点において、財務諸表に対する監査手続が実施中です。

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

（将来に関する記述等についてのご注意）

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、添付資料P. 2「1. 経営成績・財政状態に関する分析（1）経営成績に関する分析」をご覧ください。

（決算補足説明資料及び決算説明会内容の入手方法について）

当社は、平成28年2月12日にアナリスト・機関投資家向けに説明会を開催する予定です。この説明会において配布する決算補足説明資料及び説明内容（動画）は、開催後速やかに当社ウェブサイトに掲載する予定です。

## ○添付資料の目次

1. 経営成績・財政状態に関する分析 .....	2
(1) 経営成績に関する分析 .....	2
(2) 財政状態に関する分析 .....	4
(3) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当 .....	4
(4) 事業等のリスク .....	4
2. 経営方針 .....	8
(1) 会社の経営の基本方針 .....	8
(2) 目標とする経営指標 .....	8
(3) 中長期的な会社の経営戦略 .....	8
(4) 会社の対処すべき課題 .....	8
3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方 .....	9
4. 財務諸表 .....	10
(1) 貸借対照表 .....	10
(2) 損益計算書 .....	12
(3) 株主資本等変動計算書 .....	13
(4) キャッシュ・フロー計算書 .....	14
(5) 財務諸表に関する注記事項 .....	15
(継続企業の前提に関する注記) .....	15
(持分法損益等) .....	15
(セグメント情報等) .....	15
(1株当たり情報) .....	15
(重要な後発事象) .....	16

## 1. 経営成績・財政状態に関する分析

### (1) 経営成績に関する分析

#### ① 当期の経営成績

当事業年度におけるわが国経済は、緩やかな景気回復基調が続きましたが、下半期から新興国経済の減速や原油価格の下落を背景に、先行きの経営環境に対する慎重な見通しも増えてきています。

再生医療業界においては、再生医療等製品の実用化に関して、新制度の運用及びiPS細胞を用いた治療に関するエビデンス（科学的根拠）の蓄積の両面で大きな進展が見られました。制度面に関しては、平成26年11月に施行された薬機法（医薬品医療機器等法）に基づき、上場企業2社が再生医療等製品として承認申請を行っていた2製品が平成27年9月に厚生労働省より製造販売承認を取得し、同年11月に保険償還価格が決定されました。2製品のうち1つは、日本初の他家（他人の細胞）由来の再生医療等製品であり、もう1つの製品は法改正で新設された早期承認制度に基づいた条件及び期限付承認を取得しています。2製品ともに承認申請から1年以内という迅速な承認であり、再生医療等製品の実用化を推進する日本政府の姿勢を裏付ける内容となっております。

iPS細胞を用いた治療に関するエビデンスとしては、当社の共同研究先である国立研究開発法人理化学研究所をはじめとする関係機関より、自家（患者さん本人の）iPS細胞を用いた世界初の臨床研究（「滲出型加齢黄斑変性に対する自家iPS細胞由来網膜色素上皮シート移植に関する臨床研究」）における第一症例目の移植手術について、平成27年9月に1年が経過し、同年10月にはその経過観察結果が良好と発表されました。発表では「安全性の確認を主目的とした本臨床研究第一症例目の結果は術後1年経過の現時点では良好と評価できる」と報告されています。

このような状況のもと、当社はiPS細胞を培養・分化誘導して作製した人体組織と同等の機能を持つ再生医療等製品（以下、iPSC再生医薬品といいます。）の開発を中核的な事業領域と位置付けて事業を推進しております。まず、国内においては加齢黄斑変性を対象に共同開発のパートナーである大日本住友製薬株式会社（以下、大日本住友製薬といいます。）と他家iPS細胞由来の網膜色素上皮細胞（以下、RPE細胞といいます。）を懸濁液としたiPSC再生医薬品の治験準備を進めております。また、海外における加齢黄斑変性を対象としたiPSC再生医薬品においては、上場時の資金調達額が当社の当初想定額を下回ったことから自社単独開発から製薬企業等とのアライアンス（事業提携）による開発に方針を転換し、パートナー企業の決定に向けた協議を開始しております。

さらに、当社は、眼疾患以外の領域への取組みとして、公立大学法人横浜市立大学（以下、横浜市立大学といいます。）との共同研究である肝臓原基作製に向けたプロジェクトにおいて、共同開発体制の構築を目的として、平成27年10月、横浜市立大学の先端医科学研究センター内に入居いたしました。

以上の結果、当事業年度の業績は、売上高は98,167千円（前期比64.9%減）、営業損失は1,060,416千円（前期は568,296千円の営業損失）、経常損失は987,026千円（前期は470,564千円の経常損失）、当期純損失は958,103千円（前期は477,258千円の当期純損失）となりました。売上高の減少については、当事業年度は契約一時金やマイルストーン収入が発生しなかったことが要因です。前事業年度は大日本住友製薬からのマイルストーン収入200,000千円を計上しています。なお、当事業年度の売上高の構成は、欧州での眼科手術補助剤BBG250の売上に係るロイヤルティ収入及び再生医療事業の取組みに関するコンサルティング収入からなります。眼科手術補助剤の売上に係るロイヤルティ収入は、サブライセンス先における直販化及び販売地域拡大を背景に順調に推移しております。損失の拡大はマイルストーン収入が発生しなかったことに加え、研究開発費の増加（前期比302,039千円増）が主因です。

#### ② 研究開発活動

当事業年度においては、開発人員の増強を行い、開発体制の強化を推進したほか、以下のとおり、iPSC再生医薬品分野及び化合物医薬品分野について研究開発を推進いたしました。

当事業年度の研究開発費の総額は、629,100千円であります。なお、当該費用は、国内におけるRPE細胞製品の共同開発先である大日本住友製薬による開発費用の負担分を控除した後の金額になります。

##### (i) iPSC再生医薬品分野

当事業年度においては、iPS細胞由来のRPE細胞を用いた治験への準備が国内外で進捗しました。

国内においては、CPC（細胞培養センター：Cell Processing Centerの略）でのiPS細胞を用いたRPE細胞の製造最適化作業が最終段階にあります。加えて、本製品の適応疾患である加齢黄斑変性の疾患モデルで有効性評価が進行しております。また、治験に使用するiPS細胞については大日本住友製薬がマスターセルバンク（※）を作製しております。

また、海外においては、海外での治験に用いるRPE細胞の受託製造会社に対して、当社が国内で確立したRPE細胞への分化誘導方法に関わる技術の移管が完了し、引き続きCPCでの培養を前提とした条件の最適化検討が行なわれております。

さらに、当社は、平成26年11月に横浜市立大学との間で、iPS細胞等を用いて作製した臓器の芽（臓器原基）をヒトの体内に移植することによって機能的なヒト臓器を創り出すという新たな再生医療等製品（3次元臓器）に関して共同研究開発を開始いたしました。当社は、横浜市立大学大学院医学研究科臓器再生医学 谷口英樹教授、同

武部貴則准教授ら研究グループが開発した臓器原基に関する技術を臓器作製のプラットフォーム技術と考えており、まずは肝臓原基作製に着手しております。当社は、かかる共同研究開発の一環として、ヒトへの移植が可能なヒト肝臓原基の大量製造方法や、作製されたヒト肝臓原基の評価方法・移植方法などについて、横浜市立大学とよりスムーズに情報交換し、検討・協議できる体制を構築するべく、平成27年10月、横浜市立大学の先端医学科学研究センターに入居いたしました。

※マスターセルバンクとは、RPE細胞の原料となるiPSC細胞を培養して増殖させた後に小分け貯蔵したものをいいます。

(ii) 化合物医薬品分野

当事業年度においては、欧州で販売されている眼科手術補助剤の日本向け製品の製造販売承認の取得に向けた取り組みを進めました。具体的には、国内の原薬受託製造会社において安定性試験に必要な量の原薬製造を完了し、安定性試験開始に向け規制当局と協議を開始しました。また、製造体制についても、欧州向け製品を製造している欧州の受託製造会社において準備が進んでおります。

なお、当社は医薬品事業のみの単一セグメントであるため、セグメント別の業績記載を省略しております。

【開発パイプラインの状況】（平成27年12月31日現在）

<iPSC再生医薬品分野>

事業分野	開発コード	適応症	市場	前臨床試験	臨床試験	申請～承認	上市	進捗状況
iPSC再生 医薬品分野	HLCR011	WetAMD	日本					前臨床試験実施中
	HLCL041	代謝性肝疾患	日本					横浜市立大学と共同研究

事業分野	開発コード	適応症	市場	前臨床試験	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請～承認	上市	進捗状況
iPSC再生 医薬品分野	HLCR012	DryAMD	米国							製造のための技術移管
	HLCR012	DryAMD	欧州							米国第III相試験からのグローバル治験を検討中

<化合物医薬品分野>

事業分野	開発コード	適応症	市場	前臨床試験	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請～承認	上市	進捗状況		
化合物 医薬品分野	HLM0021	硝子体手術	日本								わかもと製薬にて開発中	
	HLM0021	白内障手術	日本								ライセンス先決定後、速やかに開発を進める	
	HLM0022	内境界膜剥離	欧州									<b>販売中</b>
	HLM0023	内境界膜剥離	米国								DORC社にて開発中	

③ 今後の見通し

当社は、平成28年1月8日に米Athersys社（以下、アサーシス社といいます。）が特許権・特許実施許諾権を有する幹細胞製品MultiStem®について、脳梗塞を適応症として、国内における再生医療等製品の開発・販売に関するライセンス契約を締結しており、平成28年下期から脳梗塞に対する治験を開始するべく準備に着手しております。このため、本ライセンス導入による契約一時金支払い約18億円及び開発費用約3億円が次期に発生することを見込んでいます。しかし、次期については海外におけるiPSC再生医薬品分野における事業提携による契約一時金収入の可能性等がある一方で、新たにiPSC再生医薬品分野をより加速させることが可能な新規シーズの獲得による契約一時金支払いの可能性等もあり、現時点では業績に影響を与える未確定な要素が多いことから当社では業績予想を数値で示すことが困難な状況と考えております。そこで、次期の業績予想につきましては、非開示といたしました。業績予想に関しては通期の予想が合理的に可能になった時点で公表を検討いたします。

## (2) 財政状態に関する分析

## ① 資産、負債及び純資産の状況

当事業年度末の資産合計は、前事業年度末に比べ7,315,827千円増加し、10,487,614千円となりました。

流動資産は7,261,240千円増加し、9,325,250千円となりました。主な要因は、新株発行等による現金及び預金の増加7,248,935千円であります。有形固定資産は2,942千円増加し、123,864千円となりました。主な要因は、研究生産設備等の新規投資を行ったことによるものです。無形固定資産は98,355千円減少し、800,646千円となりました。主な要因は、のれんの償却100,000千円等であります。投資その他の資産は150,000千円増加し、237,852千円となりました。これは、関連会社である株式会社サイレジェンへの追加投資により関係会社株式が増加したことによるものです。

当事業年度末の負債合計は、前事業年度に比べ603,133千円増加し、1,110,251千円となりました。

流動負債は604,617千円増加し、1,080,557千円となりました。主な要因は前受金の増加387,617千円、未払金の増加175,335千円等です。固定負債は1,484千円減少し、29,694千円となりました。

当事業年度末の純資産合計は、前事業年度に比べ6,712,693千円増加し、9,377,362千円となりました。主な要因は、資本金の増加3,846,888千円、資本剰余金の増加3,846,888千円、繰越利益剰余金の減少958,103千円等です。

## ② キャッシュ・フローの状況

当事業年度における現金及び現金同等物（以下「資金」という。）は、9,195,895千円となりました。当事業年度における各キャッシュ・フローの状況とそれらの要因は次のとおりであります。

なお、前事業年度は連結財務諸表を作成していたため、前年同期との比較は行っておりません。

## （営業活動によるキャッシュ・フロー）

営業活動により使用した資金は167,172千円となりました。支出の主な内訳は、税引前当期純損失の計上958,128千円であり、収入の主な内訳は、共同開発先からの開発費用の入金等による前受金の増加423,101千円であります。

## （投資活動によるキャッシュ・フロー）

投資活動により使用した資金は212,245千円となりました。これは、関係会社株式の取得による支出150,000千円等があったことによるものであります。

## （財務活動によるキャッシュ・フロー）

財務活動により獲得した資金は7,654,551千円となりました。これは、株式の発行による収入7,658,028千円があったことによるものであります。

## (3) 利益配分に関する基本方針及び当期・次期の配当

当社は、株主への利益還元を経営の重要課題として認識しておりますが、創業以来配当を実施しておりません。医薬品開発には多額の先行投資と長期の開発期間が必要となるため、当分の間は研究開発活動の継続的な実施に備えた資金の確保を優先し、配当は行わない方針であります。

配当を行う場合は、年1回期末での配当を考えております。なお、当社は、会社法第459条第1項の規定に基づき、法令に別段の定めがある場合を除き、株主総会の決議によらず取締役会の決議をもって剰余金の配当等を行うことができる旨定款に定めており、配当の決定機関は取締役会であります。

## (4) 事業等のリスク

当社では当社の事業展開その他に関する主要なリスク要因として以下の事項を認識しております。当社ではこれらのリスクの発生の可能性を認識した上で発生の回避及び発生した場合の対応に努める方針であります。リスクの発生をすべて回避できる保証はありません。また当社に関連するリスクをすべて網羅するものではありません。なお、文中の将来に関する事項は、当事業年度末現在において当社が判断したものであります。

## ① iPSC再生医薬品分野のリスク

## (イ) 開発期間が長期にわたることに伴う損失の計上と追加の資金調達の可能性について

当社は、iPSC再生医薬品分野及び化合物医薬品分野において研究開発を進めており、化合物医薬品分野においては平成22年に1製品を欧州において発売しておりますが、当該分野の市場規模は小さく、当社の事業の成長はiPSC再生医薬品分野の今後の研究開発の進展及び事業展開の成否に依拠しています。当社の事業の柱であるiPSC再生医薬品は、前臨床試験段階であり、製品の上市までには長い年月が必要となります。このため、実際に上市されるまで長期にわたって収益が上がり、損失を計上し続ける見込みとなっております。また、iPSC再生医薬品の開発には、多額の資金が必要となることから、第三者へのライセンス許諾や増資等によって追加の資金調達を行う可能性があります。これらの場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ロ）特定のパイプラインに関する提携先への依存について

当社は、その主要パイプラインであるHLCR011の開発に関して、大日本住友製薬との間で共同開発契約書、実施許諾契約書及び合弁契約書を締結し、これらの契約を前提に国内におけるRPE細胞製品の開発計画を立てております。

しかしながら、これらの契約は、相手先企業の経営方針の変更等の当社がコントロールし得ない何らかの事情により、期間満了前に終了する可能性が全くないとはいえません。現時点ではこれらの契約が終了するような状況は発生していませんが、本契約が終了した場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ハ）iPSC再生医薬品分野における技術革新と競合について

当社が実施しているiPSC再生医薬品に係る研究開発の領域は、国内のみならず、世界的にも注目を集めている研究分野であるため、新しい知識や技術が発見されイノベーションが生まれやすい分野であります。

特に、当社が現在開発対象としているiPSC再生医薬品の対象疾患である加齢黄斑変性に関しては、ES細胞由来の細胞医薬品を含め、様々な治療法の開発が進展しているところであります。

当社では、大学や公的研究機関と連携し、常に最先端の技術開発に取り組んでいると考えておりますが、周辺領域を含め当事業に参入している企業や潜在的な競争相手が、当社の保有している知的財産権を上回る新技術を開発し、関連特許の取得や先行して上市した場合などには、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ニ）iPSC再生医薬品を巡る法規制について

平成26年11月26日に施行された薬機法は、医薬品、医療機器等の安全かつ迅速な提供を図るものであり、iPSC再生医薬品を含む再生医療等製品について早期承認制度に基づいた条件及び期限付承認制度を新設しております。しかしながら、その運用面で当社の想定よりも多数の試験が求められた場合、開発スケジュールが大幅に遅れる可能性があります。また、かかる薬機法を含むiPSC再生医薬品に関する法規制については、技術の革新の状況や予期し得ない事態の発生等に対応して、継続的に見直しがなされる可能性があります。当社は、そうした見直しにいち早く対応すべく体制の整備に努めておりますが、法規制の追加や法改正の内容如何によっては、これまで認められてきた品質管理基準を上回る品質管理が求められる等の理由によって、多額の設備投資が必要となり、または研究開発のスケジュールが当社の計画から大幅に遅れるなどの事態が生じる可能性があります。このような場合においては、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ホ）iPSC再生医薬品の製品特性について

iPSC再生医薬品は、ヒト細胞・組織を原材料とし、人体への移植を伴うというその特性上、様々な予期せぬ副作用や医療事故の発生の可能性があり、そのために法制度上も厳しい規制がなされております。当社では、そうした規制に対応し、事故を防止するためにも、これまでの移植に知見を持つ関係者を集めるなど様々な施策を講じております。しかしながら今後さらに予期せぬ事態が発生する可能性を完全に防ぐことは難しく、そうした事態が発生した場合には当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ヘ）製造・販売体制の構築に関する不確実性について

当社のiPSC再生医薬品事業は、研究開発活動において成果をあげることにとどまらず、その後の製造及び販売についても事業として展開していくことを計画しております。そのため、当社では、提携先企業等とともに細胞の大量培養技術の開発など製造方法の確立に向けて注力しております。また、当社は、大日本住友製薬と当社の共同出資会社である株式会社サイレジェン（以下、サイレジェン社といたします。）に対して国内におけるiPS細胞由来の再生医療等製品の製造を委託することとしており、現在、製造体制の構築に向けた準備を行っております。

しかしながら、医薬品の開発には、多種多様な技術が必要となり、今後、何らかの理由で製造方法の確立、製造体制の構築等が困難になった場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

また、当社では販売体制についてもサイレジェン社を活用した販売体制の整備を進めておりますが、こうした取組みが当社の想定どおりに進まなかった場合には当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （ト）海外での事業展開について

当社は、当社の開発するiPSC再生医薬品が、国内のみならず、世界各国の難治性疾患の罹患者の方々にとって需要のあるものであると考えております。このため、当社の主要パイプラインであるHLCR012を欧米において開発する準備を進めており、今後、海外子会社の設立等といった形で海外展開に向けた取組みを視野に入れております。

しかしながら、海外における特有の法的規制や取引慣行により、必要な業務提携や組織体制の構築に困難が伴うなど、当社の事業展開が何らかの制約を受ける可能性もあり、その場合、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## ② 化合物医薬品分野に関するリスク

### （イ）当社パイプラインHLM0021及びHLM0023の開発について

化合物医薬品分野のパイプラインである眼科手術補助剤HLM0022については、平成22年に欧州のCEマーキング適合製品として有効性・安全性の確認を得た上で海外市場向けのサブライセンス先であるオランダのDutch Ophthalmic Research Center International B.V.（以下、DORC社といます。）により販売されており、当社はDORC社による同製品の売上の一定割合をロイヤルティ収入として受け取っています。一方で、日本向けのHLM0021及び米国向けHLM0023は、日米において医薬品に分類されます。このため、日米における治験に際しては、欧州よりも厳しい基準に基づき、追加の臨床試験や製造に関わる試験を求められるため、当初の計画通りに進まず、想定通りの成果があげられない場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## ③ 医薬品の研究開発一般に関するリスク

### （イ）薬価に係る法規制の改正等について

世界的な医療費抑制の流れの中で、薬価に係る法規制の改正により当社が想定している製品価値よりも低い薬価・保険償還価格となった場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

### （ロ）製造物責任において

当社が開発した医薬品が健康被害等を引き起こした場合、治験、製造、販売において不適当な点が発見された場合には、製造物責任を負う可能性があり、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## ④ 人材及び組織に関するリスク

### （イ）特定の個人への依存について

当社は、非常に小規模な組織であります。また、代表取締役社長である鍵本忠尚は、研究開発や経営方針、戦略の決定、提携先との関係構築等、当社の事業活動において重要な役割を果たしております。当社では、過度に特定の人物に依存しない組織的な経営体制の強化を進めておりますが、何らかの理由により、鍵本忠尚が当社の業務を継続することが困難になった場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

### （ロ）社内管理体制について

当社の行う事業の性質上、他の取締役及び従業員が持つ専門知識・技術・経験に負う部分も大きく、今後、当社の業務の拡大に応じて人員の増強や社内管理体制の充実を図っていく方針であります。想定どおりに人材の確保ができない場合や人材の流出が生じた場合、又は社内管理体制に不備が生じた場合には、研究開発の推進や社外との連携関係の構築に支障が生じ、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## （5）その他の事業リスク

### ① 大学等公的研究機関との関係について

当社では、これまで、公的研究機関との連携や特許実施許諾契約の締結等を通じて、積極的な研究開発活動を実施して参りました。しかしながら、国立大学の法人化により大学の知的財産権に関する意識も変化しつつあるため、特許実施許諾契約の新規締結や更新が困難となる等の事態が生じた場合には、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

### ② 知的財産権について

当社の事業を遂行していく中で、第三者が有する知的財産権を使用することがあります。当社では適法な手続きのもとに知的財産権を使用することとしておりますが、認識せずに第三者の知的財産権を侵害している可能性もあります。当社では、第三者の知的財産権に抵触することを回避するため、事実上重要と思われる知的財産権に関しては認識した時点で当社として評価し、必要に応じて遅滞なく実施許諾契約（ライセンス契約）を締結してきておりますが、今後、事業の拡大とともにこのようなリスクは増大するものと思われま。

当社は、知的財産権に関する管理体制をより強化していく方針であります。訴訟等が提起された場合、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。



また、当社が有する知的財産権が第三者により侵害される可能性もあります。当社としては、このような場合には当社の知的財産権保護のために必要な法的措置を検討していく方針ですが、費用対効果や第三者から特許無効審判等を提起される可能性なども勘案し、あえて法的措置に踏み切らない可能性も否定できず、その場合、当該第三者が当社と競合する事業を行う可能性も否定できないことから、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

③ 風評上の問題の発生について

当社は、開発における安全性の確保、法令遵守、知的財産権管理、個人情報管理等に努めております。しかしながら、当社に関してマスコミ報道などにおいて事実と異なる何らかの風評上の問題が発生した場合、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

④ 災害等の発生に関する不確実性について

当社が事業活動を行っている地域において、自然災害や火災等の事故災害等が発生した場合、当社の設備等に大きな被害を受け、その一部又は全部の稼働が中断し、研究開発が遅延する可能性があります。また、損害を被った設備等の修復のために多額の費用が発生し、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

⑤ 資金繰りについて

当社のような製薬企業を目指している企業においては、研究開発費用の負担により開発期間において継続的に営業損失を計上し、営業活動によるキャッシュ・フローはマイナスとなる傾向があります。当社としましては、新規に模索している提携先からの契約一時金及びマイルストーン収入や金融機関等からの借入を実施することで資金確保に努め、必要に応じて増資による資金調達を実施する方針であります。何らかの理由によりこうした資金の確保が進まなかった場合においては、当社の経営成績及び今後の事業展開に重大な影響を及ぼす可能性があります。

⑥ 配当政策について

当社は創業以来、株主に対する剰余金の分配を実施しておりません。株主への利益還元については、重要な経営課題と認識しており、将来的には経営成績及び財政状態を勘案しつつ剰余金の分配を検討する所存ではありますが、現時点においては繰越利益剰余金がマイナスであるため、当分の間は研究開発活動の継続的な実施に備えた資金の確保を優先し、配当は行わない方針であります。

⑦ 新規予約権の行使による株式価値の希薄化について

当社は、役員及び従業員に対して、モチベーションの向上を目的に新株予約権を付与しております。これらの新株予約権が権利行使された場合、当社株式が新たに発行され、既存の株主が有する株式の価値及び議決権割合が希薄化する可能性があります。なお、平成27年12月31日現在、これらの新株予約権による潜在株式数は1,850,000株であり、発行済株式総数及び潜在株式数の合計の4.4%に相当しております。

## 2. 経営方針

### (1) 会社の経営の基本方針

当社は『「生きる」を増やす。爆発的に。』というミッションを掲げ、日本が誇るiPS細胞等の優れた幹細胞技術をもって、世界中の難治性疾患の罹患者に対して新たな治療法による治癒と希望を届けるべく、当社が強みを有する眼疾患領域に限らず、眼疾患以外の疾患をも視野に入れて、研究開発から製造販売承認の取得、製造・販売までを自社、関係会社及び提携会社において実現する体制の確立を目指し、事業を進めております。

### (2) 目標とする経営指標

当社の中核領域であるiPSC再生医薬品分野の研究開発推進には、多額の開発資金が必要となるため、当該製品が上市されるまでは研究開発費を中心に先行投資が続くものと想定しております。したがって現段階においては、共同開発先からのマイルストーン収入や化合物医薬品分野のロイヤルティ収入等により財務の安定化を図りつつ、早期にiPSC再生医薬品分野の製品を上市することを目標として事業を推進してまいります。

### (3) 中長期的な会社の経営戦略

当社は、iPSC再生医薬品の実用化を重要な使命と位置づけて、まずは国内のRPE細胞の早期承認を目指します。RPE細胞の海外展開においては、製造方法の確立を自社で継続して進めるとともに、アライアンス先であるパートナー企業を決定し、治験準備を本格化させる方針です。当社が臓器作製のプラットフォーム技術と考える臓器原基を用いた再生医療等製品（3次元臓器）においては、共同研究開発先の横浜市立大学が準備を進めている平成31年開始予定の臨床研究を共同で進めるとともに、臓器ごとにパートナー企業との事業連携を積極的に検討していきます。化合物医薬品においては、販売国の拡大に加え、国内での承認申請を進める方針です。

なお、当社は平成28年1月8日にアサーシス社から国内における幹細胞製品MultiStemを用いた脳梗塞に対する再生医療等製品の開発・販売に関する独占的なライセンス契約を締結し、平成28年下期から治験を開始するべく準備を進めてまいります。

当社は、iPSC再生医薬品分野と化合物医薬品分野による複数かつ多層的なパイプライン戦略により、リスク低減を行い、早期黒字化とそれによる経営基盤安定化を目指します。

### (4) 会社の対処すべき課題

当社が事業の中核領域と位置付けているiPS細胞技術によるiPSC再生医薬品に関しては、これまでの医薬品産業と異なる新しい産業として成長する可能性があり、かつ、これまで適切な治療法がなかった多くの疾患への適用が可能であると判断しています。当社は、将来的には製薬企業として研究開発、製造から販売まで全てを自社で行う体制の構築を目指して、iPSC再生医薬品分野における開発を進めてまいります。

#### ① 既存パイプラインの開発推進について

##### (イ) iPSC再生医薬品HLCR011の国内臨床試験の推進について

日本国内における滲出（ウェット）型加齢黄斑変性を対象としたiPSC再生医薬品HLCR011の開発については、共同開発のパートナーである大日本住友製薬とともに、他家iPS細胞由来のRPE細胞を懸濁液とした再生医療等製品として、法改正で新設された早期承認制度に基づいた条件及び期限付承認（※）の取得を想定して開発を進めております。この制度を利用した場合、治験薬の製造時には、承認申請を見据えた製造管理及び品質管理に関する基準であるGCTP省令に対応（準拠）しておく必要があります。このため、当社は、治験薬の製造時点までに適切な基準に対応した設備及び組織体制を整えておく必要があります。国内のRPE細胞製品の製造や承認後の医療機関への販売促進活動に関しては大日本住友製薬と当社の合弁会社であるサイレジェン社に委託する考えであり、当社とサイレジェン社とのスムーズな連携が課題と考えております。

※条件及び期限付承認とは、従来のように、治験により安全性と有効性の両方の確認を行った上で製造販売承認を与えるのではなく、治験によって安全性の確認は必要ですが有効性に関しては推定された段階で条件及び期限を付した承認を与え、実際に患者さんへの投与を可能とし、市販後に有効性を検証し、再度承認申請を行って本承認を与えることにより、再生医療等製品の早期の実用化を可能とする制度であります。

##### (ロ) iPSC再生医薬品HLCR012の米国及び欧州での臨床試験の推進について

米国及び欧州においては、日本のような条件及び期限付承認制度は設けられておりません。このため、米国及び欧州における萎縮（ドライ）型加齢黄斑変性を対象としたiPSC再生医薬品HLCR012の開発については、まずは、第I/第II相臨床試験を開始し、安全性と有効性の確認をしていくこととなります。当社は、米国及び欧州での治験に用いる治験薬製造の準備を進めておりますが、上場時の資金調達当社が当初想定を下回ったことから米国及び欧州に関しては自社単独での開発から製薬企業等とのアライアンスによる開発に方針を転換しています。早期にパートナー企業を決定し、本格的な開発を進めることが課題と考えております。

（ハ） iPSC再生医薬品HLCL041の日本における開発

当社は眼疾患の領域に加えて、アンメットメディカルニーズ（未だ有効な治療法がない医療ニーズ）の高い他の領域におけるパイプラインの拡充にも積極的に取り組んでいます。具体的な取組みの一例が、横浜市立大学と平成26年10月24日付で全世界における独占的な特許実施許諾契約を締結した、臓器のもとになる臓器原基を人為的に創出する新規の細胞培養操作技術を用いた機能的なヒト臓器の作製です。この技術の実用化に向け、当社は代謝性肝疾患を対象とした再生医療等製品を開発するべく横浜市立大学との共同研究開発を開始しています。同製品の開発にあたっては、ヒトへの移植が可能なヒト肝臓原基の大量製造方法の構築、さらに作製されたヒト肝臓原基の評価方法や移植方法等を検討し、再生医療等製品として最適なプロトコルを確立することが課題と考えております。

② 開発におけるアライアンス体制の強化について

当社はiPSC再生医薬品の実用化を重要な使命と位置付けており、実用化を加速させることが可能な新規技術・ノウハウを国内外の公的研究機関や企業等から積極的に獲得すべく、国際的な情報ネットワークの一層の強化が必要と考えております。

3. 会計基準の選択に関する基本的な考え方

当社は、会計基準につきましては日本基準を適用しております。今後のIFRS（国際財務報告基準）の検討につきましては、国内外の諸情勢を踏まえて、適切に対応していく方針であります。

## 4. 財務諸表

## (1) 貸借対照表

(単位:千円)

	前事業年度 (平成26年12月31日)	当事業年度 (平成27年12月31日)
<b>資産の部</b>		
流動資産		
現金及び預金	1,946,959	9,195,895
売掛金	21,519	21,265
前渡金	5,788	47,220
前払費用	33,145	37,890
その他	56,598	22,979
流動資産合計	2,064,010	9,325,250
固定資産		
有形固定資産		
建物	75,103	81,474
減価償却累計額	△16,640	△37,886
建物(純額)	58,462	43,587
工具、器具及び備品	83,399	141,376
減価償却累計額	△20,940	△61,099
工具、器具及び備品(純額)	62,458	80,276
有形固定資産合計	120,921	123,864
無形固定資産		
ソフトウェア	7,335	8,980
のれん	891,666	791,666
無形固定資産合計	899,002	800,646
投資その他の資産		
関係会社株式	50,000	200,000
敷金及び保証金	37,852	37,852
投資その他の資産合計	87,852	237,852
固定資産合計	1,107,776	1,162,363
資産合計	3,171,787	10,487,614
<b>負債の部</b>		
流動負債		
未払金	106,712	282,047
未払費用	12,980	9,457
未払法人税等	—	21,383
前受金	347,924	735,541
その他	8,322	32,126
流動負債合計	475,939	1,080,557
固定負債		
繰延税金負債	6,619	3,782
資産除去債務	24,559	25,912
固定負債合計	31,179	29,694
負債合計	507,118	1,110,251

(単位:千円)

	前事業年度 (平成26年12月31日)	当事業年度 (平成27年12月31日)
純資産の部		
株主資本		
資本金	1,533,500	5,380,388
資本剰余金		
資本準備金	1,532,500	5,379,388
資本剰余金合計	1,532,500	5,379,388
利益剰余金		
その他利益剰余金		
繰越利益剰余金	△431,540	△1,389,644
利益剰余金合計	△431,540	△1,389,644
株主資本合計	2,634,459	9,370,131
新株予約権	30,209	7,231
純資産合計	2,664,668	9,377,362
負債純資産合計	3,171,787	10,487,614

## (2) 損益計算書

(単位:千円)

	前事業年度 (自 平成26年1月1日 至 平成26年12月31日)	当事業年度 (自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日)
売上高	279,997	98,167
売上原価	49,231	9,392
売上総利益	230,766	88,774
販売費及び一般管理費		
研究開発費	327,060	629,100
その他	472,001	520,090
販売費及び一般管理費合計	799,062	1,149,191
営業損失(△)	△568,296	△1,060,416
営業外収益		
助成金収入	100,408	141,117
その他	774	7,327
営業外収益合計	101,182	148,444
営業外費用		
支払利息	1,144	—
支払手数料	2,000	—
為替差損	306	28,550
株式交付費	—	35,747
株式公開費用	—	9,396
その他	—	1,359
営業外費用合計	3,450	75,053
経常損失(△)	△470,564	△987,026
特別利益		
新株予約権戻入益	—	28,897
特別利益合計	—	28,897
税引前当期純損失(△)	△470,564	△958,128
法人税、住民税及び事業税	1,620	2,811
法人税等調整額	5,073	△2,836
法人税等合計	6,693	△25
当期純損失(△)	△477,258	△958,103

## (3) 株主資本等変動計算書

前事業年度（自 平成26年1月1日 至 平成26年12月31日）

(単位：千円)

	株主資本						新株予約権	純資産合計
	資本金	資本剰余金		利益剰余金		株主資本合計		
		資本準備金	資本剰余金合計	その他利益剰余金 繰越利益剰余金	利益剰余金合計			
当期首残高	1,508,000	1,507,000	1,507,000	45,717	45,717	3,060,717	1,484	3,062,201
当期変動額								
新株の発行	25,500	25,500	25,500			51,000		51,000
当期純損失（△）				△477,258	△477,258	△477,258		△477,258
株主資本以外の項目の当期変動額（純額）							28,725	28,725
当期変動額合計	25,500	25,500	25,500	△477,258	△477,258	△426,258	28,725	△397,533
当期末残高	1,533,500	1,532,500	1,532,500	△431,540	△431,540	2,634,459	30,209	2,664,668

当事業年度（自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日）

(単位：千円)

	株主資本						新株予約権	純資産合計
	資本金	資本剰余金		利益剰余金		株主資本合計		
		資本準備金	資本剰余金合計	その他利益剰余金 繰越利益剰余金	利益剰余金合計			
当期首残高	1,533,500	1,532,500	1,532,500	△431,540	△431,540	2,634,459	30,209	2,664,668
当期変動額								
新株の発行	3,846,888	3,846,888	3,846,888			7,693,776		7,693,776
当期純損失（△）				△958,103	△958,103	△958,103		△958,103
株主資本以外の項目の当期変動額（純額）							△22,978	△22,978
当期変動額合計	3,846,888	3,846,888	3,846,888	△958,103	△958,103	6,735,672	△22,978	6,712,693
当期末残高	5,380,388	5,379,388	5,379,388	△1,389,644	△1,389,644	9,370,131	7,231	9,377,362

## (4) キャッシュ・フロー計算書

(単位:千円)

	当事業年度 (自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日)
<b>営業活動によるキャッシュ・フロー</b>	
税引前当期純損失(△)	△958,128
減価償却費	28,068
のれん償却額	100,000
新株予約権戻入益	△28,897
受取利息	△648
為替差損益(△は益)	26,198
株式交付費	35,747
株式公開費用	9,396
売上債権の増減額(△は増加)	253
前渡金の増減額(△は増加)	△41,431
前払費用の増減額(△は増加)	△4,745
未収入金の増減額(△は増加)	△22,004
未収消費税等の増減額(△は増加)	25,355
未払金の増減額(△は減少)	170,793
前受金の増減額(△は減少)	423,101
未払法人税等(外形標準課税)の増減額(△は減少)	18,439
未払消費税等の増減額(△は減少)	23,642
その他	△3,360
小計	△198,220
利息の受取額	648
法人税等の還付額	30,399
<b>営業活動によるキャッシュ・フロー</b>	<b>△167,172</b>
<b>投資活動によるキャッシュ・フロー</b>	
有形固定資産の取得による支出	△59,036
無形固定資産の取得による支出	△3,208
関係会社株式の取得による支出	△150,000
投資活動によるキャッシュ・フロー	△212,245
<b>財務活動によるキャッシュ・フロー</b>	
株式の発行による収入	7,658,028
新株予約権の発行による収入	5,919
株式公開費用の支出	△9,396
財務活動によるキャッシュ・フロー	7,654,551
現金及び現金同等物に係る換算差額	△26,198
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	7,248,935
現金及び現金同等物の期首残高	1,946,959
現金及び現金同等物の期末残高	9,195,895



- (5) 財務諸表に関する注記事項  
 (継続企業の前提に関する注記)  
 該当事項はありません。

(持分法損益等)

前事業年度（自 平成26年1月1日 至 平成26年12月31日）  
 前事業年度は連結財務諸表を作成しているため記載しておりません。

	当事業年度 (自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日)
関連会社に対する投資の金額	200,000千円
持分法を適用した場合の投資の金額	191,090
持分法を適用した場合の投資損失(△)の金額	△5,454

(セグメント情報等)

当社は、医薬品事業のみの単一セグメントのため、記載を省略しております。

(1株当たり情報)

	前事業年度 (自 平成26年1月1日 至 平成26年12月31日)	当事業年度 (自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日)
1株当たり純資産額	78.23円	230.53円
1株当たり当期純損失金額	14.33円	25.60円

- (注) 1. 前事業年度及び当事業年度の潜在株式調整後1株当たり当期純利益金額については、潜在株式は存在するものの1株当たり当期純損失金額であるため記載しておりません。
2. 当社は、平成26年12月10日付で株式1株につき100株の株式分割を行っておりますが、前事業年度の期首に当該株式分割が行われたと仮定し、1株当たり純資産額及び1株当たり当期純損失金額を算定しております。
3. 1株当たり当期純損失金額の算定上の基礎は、以下のとおりであります。

	前事業年度 (自 平成26年1月1日 至 平成26年12月31日)	当事業年度 (自 平成27年1月1日 至 平成27年12月31日)
当期純損失金額(千円)	477,258	958,103
普通株主に帰属しない金額(千円)	—	—
普通株式に係る当期純損失金額(千円)	477,258	958,103
期中平均株式数(株)	33,295,547	37,423,408
希薄化効果を有しないため、潜在株式調整後1株当たり当期純利益金額の算定に含めなかった潜在株式の概要	—	—

## （重要な後発事象）

## （重要な契約の締結）

当社は、平成28年1月8日開催の取締役会において、米国のバイオテクノロジー企業アサーシス社との間でライセンス契約を締結することを決議し、同日付で契約を締結いたしました。なお、契約の概要は以下のとおりであります。

## （1）契約の目的

アサーシス社が特許権・特許実施許諾権を有する幹細胞製品MultiStemを用いた細胞治療医薬品を日本で再生医療等製品として脳梗塞の治療に貢献させること、及び幹細胞製品MultiStemを間葉系幹細胞として用いることにより再生医療等製品の作製可能性・コスト削減を検討することといたします。

## （2）契約の相手先の名称

Athersys, Inc.

## （3）契約の締結時期

平成28年1月8日

## （4）契約の内容

幹細胞製品MultiStemを用いた脳梗塞に対する細胞治療医薬品の開発・販売に関する国内の独占的なライセンス契約及び幹細胞製品MultiStemを当社が横浜市立大学と共同研究開発している肝疾患領域を対象とした再生医療等製品の原料として研究・開発するライセンス契約。

なお、本契約に基づき、当社はアサーシス社に対して契約一時金150万米ドルを支払い、開発段階に応じた開発マイルストーンとして最大で合計300万米ドルを支払います。また、発売後は、アサーシス社は当社に製品を供給し、当社はアサーシス社に対して、販売額に応じたランニングロイヤルティを支払います。

## （5）契約の締結が業績に与える影響

平成28年12月期決算において、研究開発費約2,100百万円を販売費及び一般管理費に計上する見込みであります。

## （多額な資金の借入）

当社は、平成28年1月8日開催の取締役会において、資金の借入について決議し、平成28年1月14日に実行いたしました。なお、契約の概要は以下のとおりであります。

## （1）資金使途

上記ライセンス導入による契約一時金及び開発費用の支払い

## （2）借入先の名称

株式会社みずほ銀行、株式会社三井住友銀行、株式会社三菱東京UFJ銀行、三井住友信託銀行株式会社

## （3）借入金額

2,000百万円

## （4）利率

変動金利

## （5）借入実行日

平成28年1月14日

## （6）返済期日

平成31年1月11日、平成31年1月15日

## （7）担保提供

定期預金550百万円

## （8）その他

平成28年12月期決算において、支払利息約300百万円を営業外費用に計上する見込みであります。