



Healios

「生きる」を増やす。爆発的に。

2016年12月期 第2四半期決算説明資料

| | | |
|---|---------------------|-----|
| 1 | 決算概況 | P2 |
| 2 | 2016年第2四半期決算のアップデート | P5 |
| 3 | 体性幹細胞再生医薬品分野の詳細 | P15 |
| 4 | iPSC再生医薬品分野の詳細 | P23 |
| 5 | 3次元臓器（肝臓）への展開 | P37 |
| 6 | ニュースフロー | P44 |
| 7 | 会社概要 | P46 |
| 8 | Appendix | P50 |

1. 決算概況

(単位：百万円)

| | 2015年12月期 第2四半期 | 2016年12月期 第2四半期 | | |
|----------------|--------------------|-----------------|--------|-------------------------|
| | | | 前年比増減額 | 増減要因 |
| 売上高 | 59 | 41 | ▲18 | |
| 営業利益 | ▲513 | ▲2,602 | ▲2,089 | 研究開発費の増加 ▲2,030 |
| 経常利益 | ▲418 | ▲2,647 | ▲2,229 | |
| 当期利益 | ▲417 | ▲2,650 | ▲2,233 | |
| 研究開発費 | 292 | 2,322 | +2,030 | Multistemライセンス導入 +1,809 |
| のれん償却費 | 50 | 50 | — | |
| 従業員数 (社員のみ) | 42名 | 52名 | +10名 | |

(単位：百万円 / 下段：構成比)

| | | 2015年12月期末 | 2016年12月期 第2四半期末 | | |
|----------|------|--------------------|--------------------|--------|--------------|
| | | | | 前年増減額 | 主な増減要因 |
| 資産 | 流動資産 | 9,325 (88.9%) | 9,271 (89.2%) | ▲54 | |
| | 固定資産 | 1,162 (11.1%) | 1,123 (10.8%) | ▲38 | |
| 資産合計 | | 10,487 (100.0%) | 10,395 (100.0%) | ▲92 | |
| 負債 | 流動負債 | 1,080 (10.3%) | 1,130 (10.9%) | +50 | |
| | 固定負債 | 29 (0.3%) | 2,532 (24.4%) | +2,503 | 長期借入金 +2,500 |
| 負債合計 | | 1,110 (10.6%) | 3,663 (35.2%) | +2,552 | |
| 純資産合計 | | 9,377 (89.4%) | 6,731 (64.8%) | ▲2,645 | 利益剰余金 ▲2,650 |
| 負債・純資産合計 | | 10,487 (100.0%) | 10,395 (100.0%) | ▲92 | |

2. 2016年第2四半期決算のアップデート

体性
幹細胞
再生
医薬品

MultiStem®



- ・本年度後半からの治験開始に向けて、PMDAとの相談を経て準備を進める。
- ・アライアンスによる販売体制の構築を検討。

iPSC
再生
医薬品

国内RPE



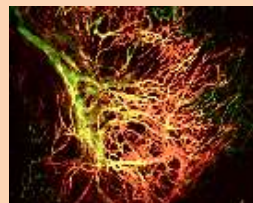
- ・大日本住友製薬とともに製造最適化を進める。
- ・前臨床試験の計画見直し等により、2017年に予定していた治験開始は遅れる見込み。
- ・理研等により、臨床研究が新たに発表され「他家×懸濁液」の投与が近く実施される見込み。
- ・移植前免疫反応検査法に関する共同研究開発を開始

2

海外RPE

- ・受託製造会社にてCPCでの培養最適化が進行

3次元臓器
(肝臓)



- ・横浜市立大学との共同研究を推進。
- ・肝臓原基製造に際し、生物由来原料基準に適合した試薬の検討など。

1

**米国
Universal
Cells社**
「次世代iPS
細胞」の研究を開始。

化合物

BBG



- ・日本向け製品の製造販売承認の取得に向け、原薬・製剤受託製造会社において、GMP製造に向けた検討が進行。
- ・第Ⅲ相医師主導試験結果について学会誌にて掲載（100%の有効性を確認）

3

注)RPE:網膜色素上皮細胞 CPC:細胞培養センター (Cell Processing Centerの略)

(出所) MultiStemに関する画像: Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

3次元臓器に関する画像: Takebe,T., et al. Nature Protocols, 9, 396-409 (2014)

iPSC
再生
医薬品

国内RPE

海外RPE

3次元臓器
(肝臓)

米国Universal Cells社

遺伝子編集によってHLA(自己と非自己を識別する細胞表面抗原)の発現を調整し、免疫拒絶反応のリスクが低い多能性細胞を作成する技術のiPS細胞への応用に関するライセンス契約に移行するオプション権を含む共同研究契約を締結。

複数の適応症に対して、全世界での同技術の使用に関し独占的オプション権を含んでおり、完成した細胞株の所有権は当社が保有。

会社概要

Universal Cells, Inc.は、ゲノムを切除することなく効率的かつ正確に編集することを可能とする、核酸分解酵素不要のゲノム編集技術を開発するバイオテクノロジー企業。

(詳細) <http://www.universalcells.com>

iPSC
再生
医薬品

国内RPE



「滲出型加齢黄斑変性に対するiPS細胞由来網膜色素上皮細胞移植に関する臨床研究」の発表

研究計画の概要

2013年より実施した先の臨床研究では、患者由来（自家）iPS細胞をもとに網膜色素上皮（RPE）シートを作製し、移植を行いました。今回の新たな臨床研究では、自家細胞・シート移植の手法に限定することなく、他家細胞の使用や細胞懸濁液の移植についても検討することを計画しています。

| | | シート | 浮遊液 |
|------|----------------|----------------|-----------------|
| | | 手術 リスク大 | 手術 リスク小 |
| 自家細胞 | 製造 コスト大 | 数症例 実施予定 | 数症例 実施予定 |
| 他家細胞 | 製造 コスト小 | 数症例 実施予定 | 数症例 実施予定 |

(出所) 理化学研究所等記者会見資料を基にヘリオス作成

iPSC
再生
医薬品

国内RPE



・免疫拒絶反応の有無を含めた移植適合性を、移植前に確認するための新たな検査法の研究開発を開始

2



×



×



研究開発内容

ヘリオスおよび大日本住友製薬は、他家iPS細胞からRPE細胞を作製してシスメックスに提供し、シスメックスは、自社が保有するイメージングフローサイトメーターやタンパク質解析技術を用いて移植前免疫反応検査法の開発を行います。検査で得られた結果は、患者様にとって他家細胞移植後の最適な免疫抑制療法に反映されることが期待。

化合物

BBG



日本向け製品の製造販売承認の取得に向け、原薬・製剤受託製造会社において、GMP製造に向けた検討が進行

日本眼科学会雑誌第120巻6号

- 第Ⅲ相医師主導試験結果について、データにて有効性が示された。
- 特に全症例において有効という結果

| 項目 | 症例数 | 割合(%) | 95%信頼区間(Wilson区間) |
|------|-----|---------|-------------------|
| 解析対象 | 30 | — | — |
| 有効* | 30 | (100.0) | (88.6~100.0) |
| 無効** | 0 | (0.0) | (0.0~11.4) |

*:有効とは、5段階レベルで2以上をさす。

** :無効とは、5段階レベルで2未満をさす。

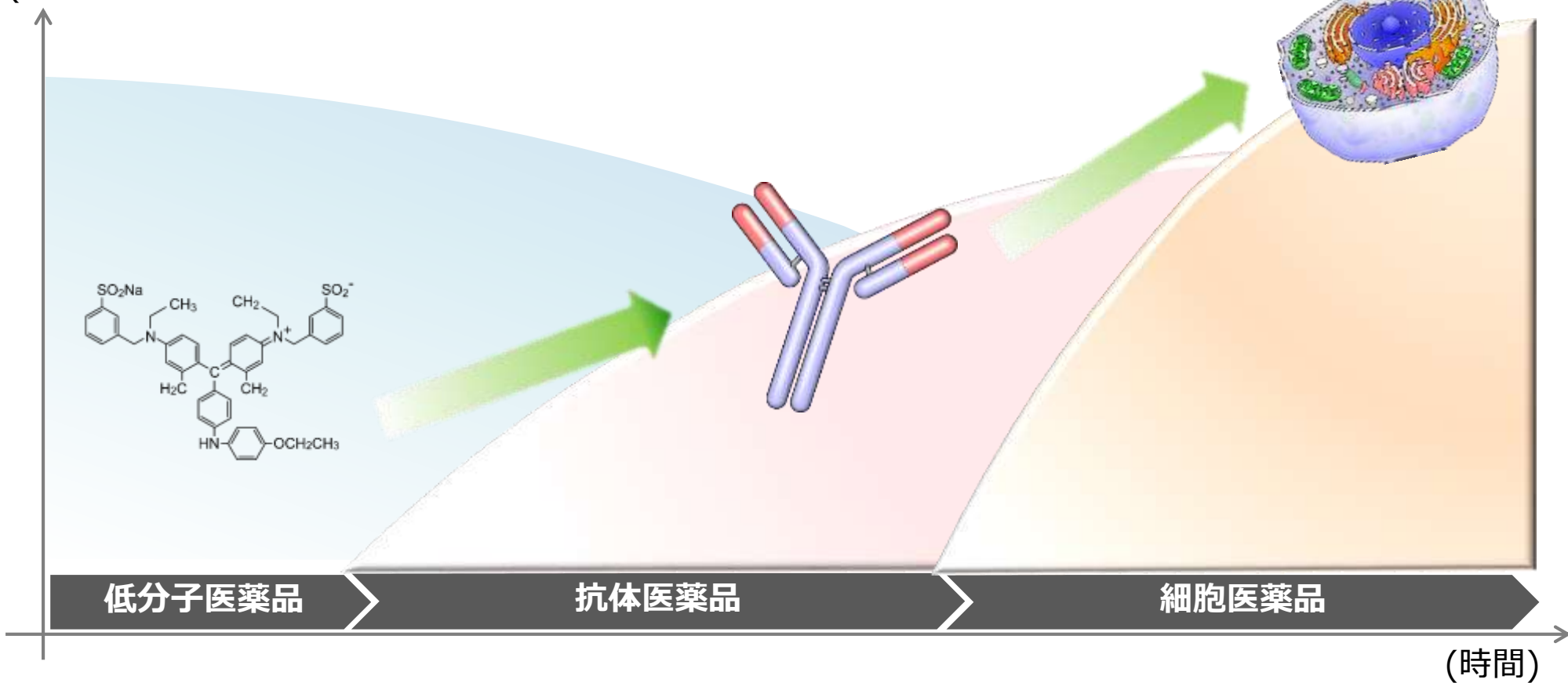
出所) 日本眼科学会雑誌第120巻6号を基にヘリオス作成

| 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 | | |
|--------------|---------|---------|----|-------|-------|--------|---------|-------|----|---------------------------|----------------------|-----|
| 体性幹細胞再生医薬品分野 | HLCM051 | 脳梗塞 | 日本 | → | | | | | | | 2016年下半年より臨床試験に着手予定 | |
| iPSC再生医薬品分野 | HLCR011 | Wet AMD | 日本 | → | | | | | | 2017年を予定していた臨床試験開始は遅れる見込み | | |
| | HLCL041 | 代謝性肝疾患 | 日本 | → | | | | | | 横浜市立大学と共同研究 | | |
| | HLCR012 | Dry AMD | 米国 | → | | | | | | 製造のための技術移管 | | |
| | HLCR012 | Dry AMD | 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 | 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 | → | | | | | | | | 販売中 |
| | HLM0023 | 内境界膜剥離 | 米国 | → | | | | | | | D.O.R.C.社にて開発中 | |

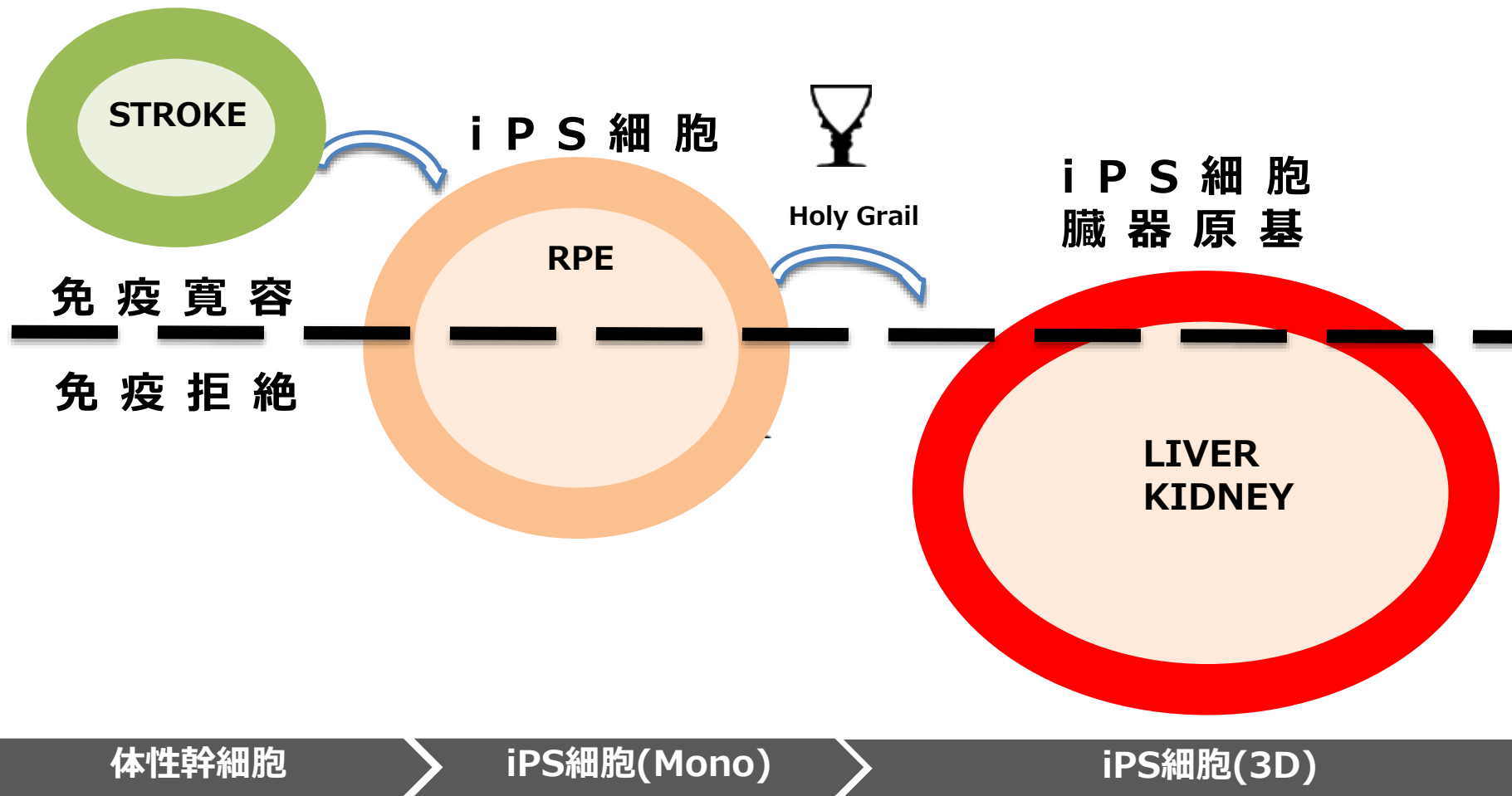
注)Wet AMD: 滲出性加齢黄斑変性 Dry AMD: 萎縮型加齢黄斑変性

低分子医薬品から抗体医薬品、細胞医薬品などへ技術開発が進む

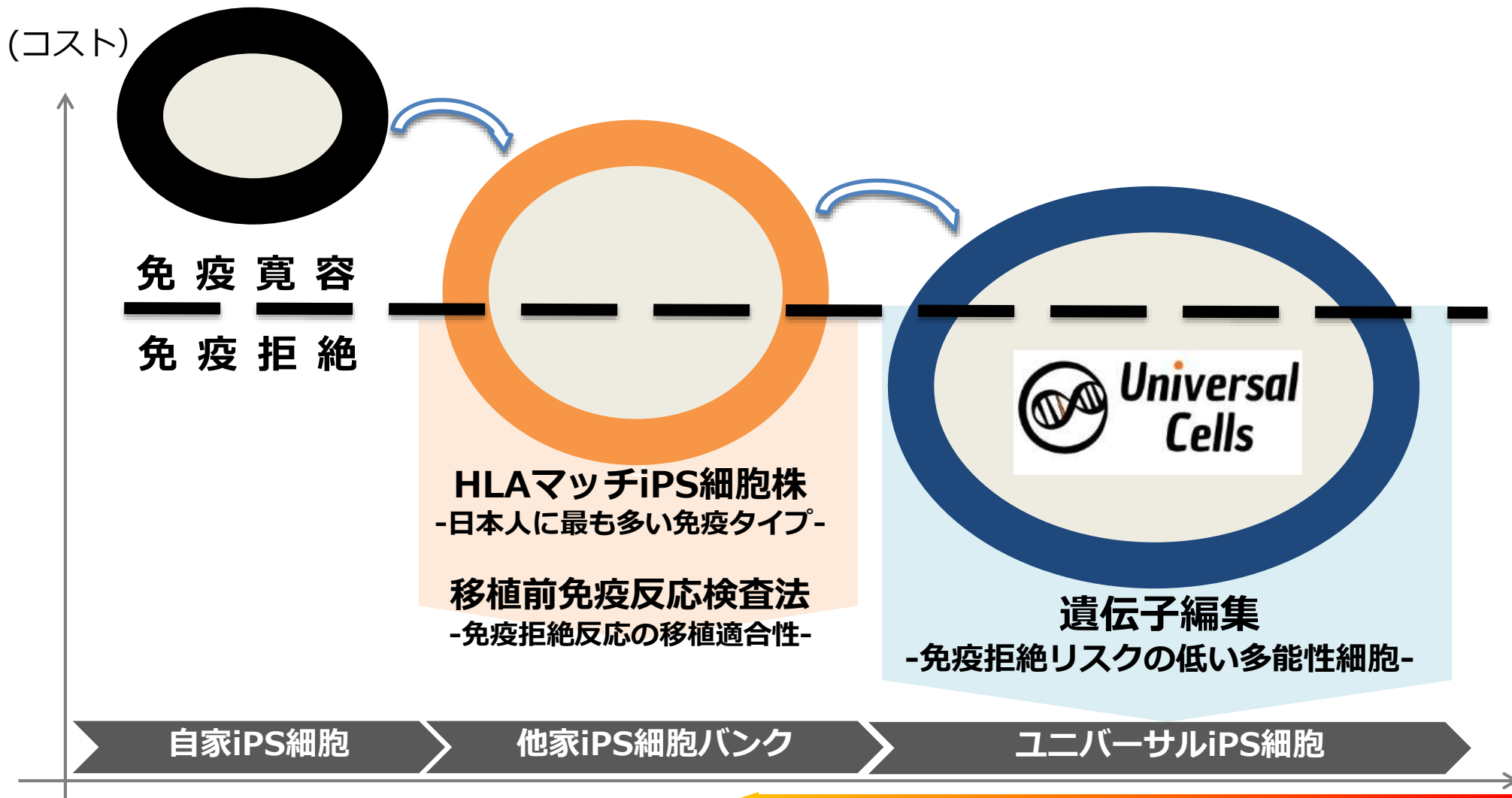
(技術開発)



当社の考える次世代細胞医薬品事業イメージ



当社の考える免疫拒絶反応に対するアプローチ



3. 体性幹細胞再生医薬品分野の詳細

Athersys社が特許権・特許実施許諾権を有する幹細胞製品MultiStemについて、国内における再生医療等製品に関する次のライセンス契約を締結。

① 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・販売等に関する国内の独占的なライセンス契約

② 幹細胞製品MultiStemの主成分を、ヘリオスが公立大学法人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（3次元臓器）の原料として研究・開発するライセンス契約

会社概要

| | |
|--------|---|
| 社名 | Athersys, Inc. (NASDAQ:ATHX) |
| 代表者 | Gil Van Bokkelen, Ph.D. Chairman and CEO |
| 本社 | 3201 Carnegie Avenue, Cleveland, Ohio |
| 資本金 | \$323million(2015年12月末時点) |
| 従業員数 | 60名(2015年12月末時点) |
| 研究所 | Cleveland, Ohio (U.S.A.) and Leuven, Belgium (E.U.) |
| 主な外部株主 | Pappas Ventures, Sabby Management, The Vanguard Group, M&G IM |



脳梗塞

脳に酸素と栄養を提供する動脈が閉塞、虚血症状にあり脳組織が壊死する病気。脳卒中には、脳出血と脳梗塞があり、70～75%が脳梗塞と言われる。

感覚障害や言語障害など壊死した部位により症状は異なるが、後遺症を残し、65歳以上の寝たきりの37.9%、介護が必要になった者の21.7%が脳梗塞が原因と言われる。



(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

発症後経過時間に応じた治療

- 脳梗塞発症後に、「治療できる時間がより長い新薬の開発」が待たれる疾患領域



※1 脳の血管に詰まった血の塊を溶かす血栓溶解療法。

※2 閉塞した脳動脈内の血栓を直接回収する等にて血流を再開させる治療法。

注) 本資料では、急性期脳梗塞に対する主だった治療法と、一般的な発症後の各治療可能時間を簡略に示すことを目的としております。治療については、患者の状況や症状分類に応じて実施され、上記以外の治療法も実施されております。

本製品の国内対象患者数は推定6.2万人

| | 日本  | 備考 |
|------------------------------|--|------------------------------|
| 脳梗塞発症患者数（年） | 23万人～33万人 | 脳梗塞の年間医療費 1兆707億円（平成21年度） |
| 重度患者数 （主にアテローム血栓症と心原性塞栓症） | 13万人 | |
| 36時間以内 到着患者数 | 6.2万人 | |

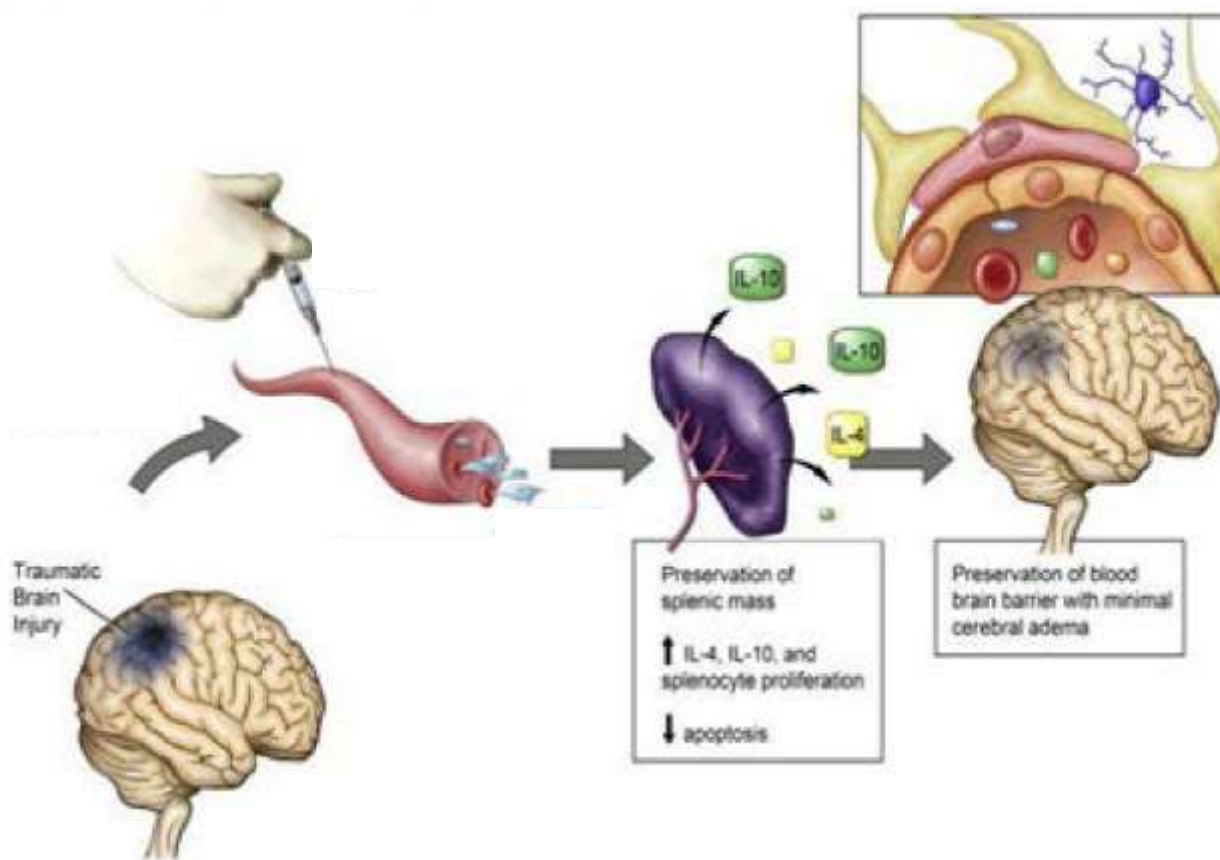
アライアンス等による販売体制の構築を検討

（出所）日本の年間発症患者数は、総務省消防庁、厚生労働省資料及びDatamonitor等を基に当社推定。

（出所）36時間以内の到着患者割合47%は、当社実施市場調査を基に推定。

炎症や免疫反応を抑えて神経細胞の損傷を抑制し、神経保護物質を産生

- 急性神経障害後の点滴静脈投与により、MultiStemは脾臓に分布して炎症免疫細胞の活性化を抑制
- 種々のサイトカインや増殖因子を放出して神経保護作用を促進



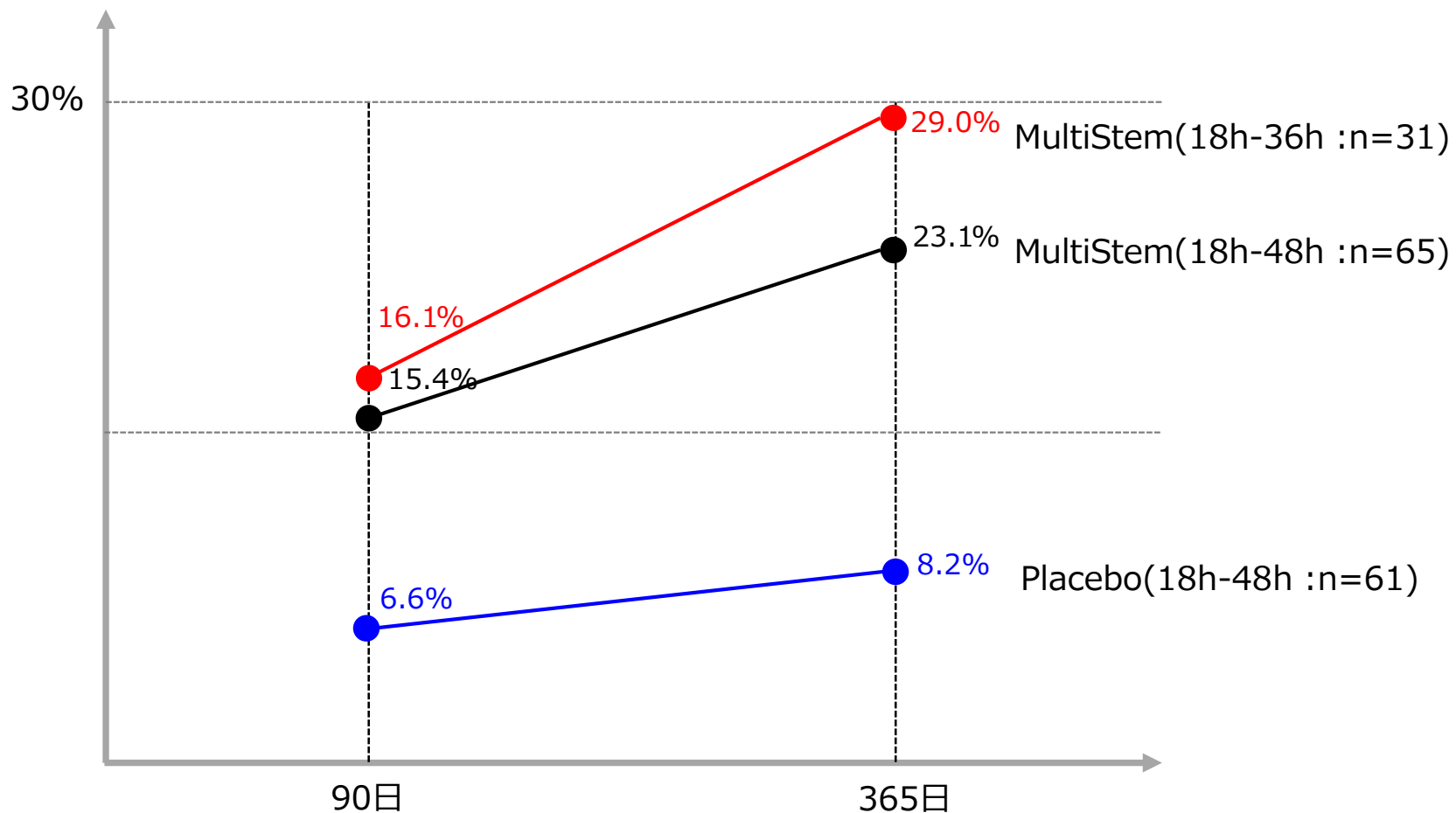
(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成



- 特許取得済み、骨髄由来
- 免疫抑制剤が不要
- 長期保管が可能（凍結保存）
- 一貫した安全性
- 複数の薬理作用に基づく有効性
- 投与した細胞は体内から安全に消失

（出所）Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

Excellent Outcomeを示した患者の割合



出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

注) Excellent Outcome : 優れた回復症状として、次の基準として定義 (mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上に該当する状態)

脳卒中領域への展開

- 脳梗塞に新しいメカニズムの治療法を提案でき、高い市場ニーズが期待できる
- 再生医療等製品として、いちはやく日本の患者に届ける

iPSC再生医薬品分野との技術的な相乗効果

- 再生医療等製品（3次元臓器）の原料として、生産および開発効率を大幅に高めることを期待
- GMPグレードの大量細胞培養技術を持つ企業とのアライアンス構築

当社の早期収益化を企図

- 既に欧州・米国では、第II b相臨床試験を実施
- 日本国内においても、早急に臨床試験への着手を予定

4. iPSC再生医薬品分野の詳細



Step 1

疾患をiPS細胞で治療する

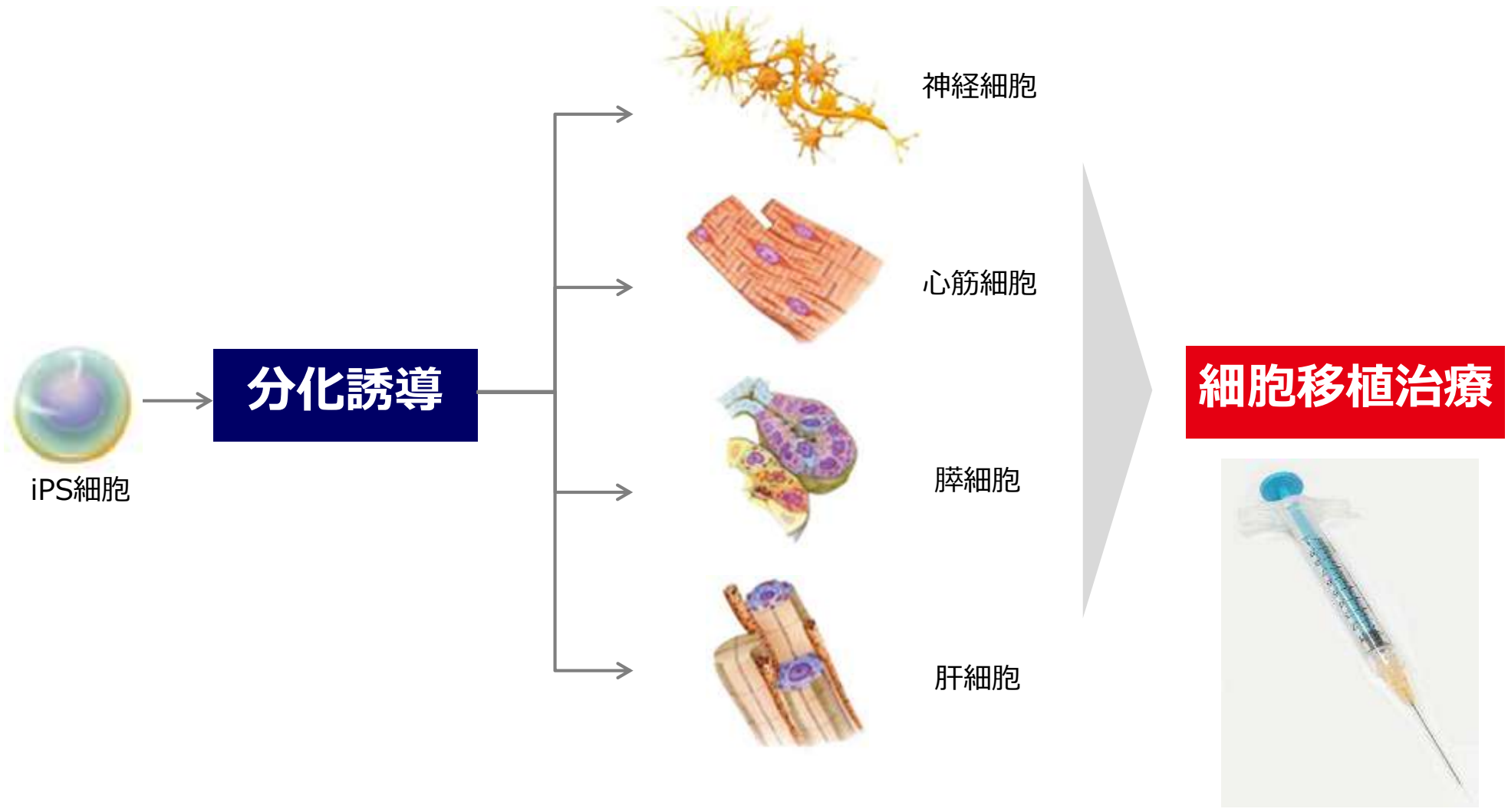
Step 2

加齢黄斑変性と市場規模

Step 3

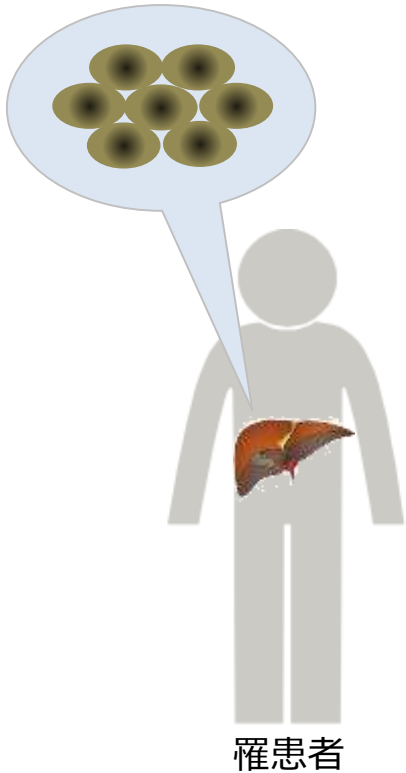
RPE細胞医薬品の上市にむけたストラテジー

iPS細胞から「正常な細胞」を作り出す

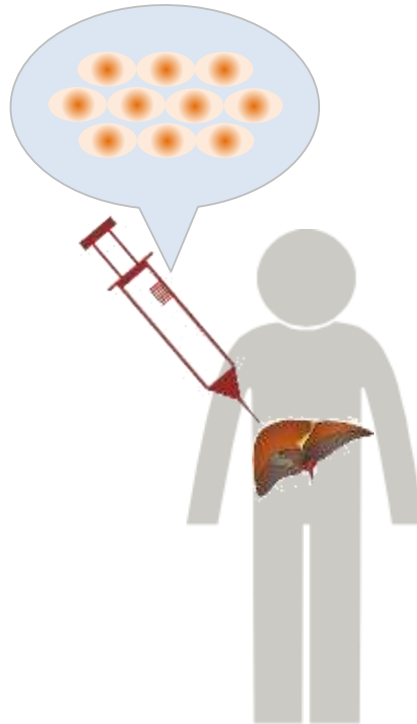


正常な細胞で、損傷した細胞を置き換える

老化や疾患、事故で
損傷した組織（細胞）

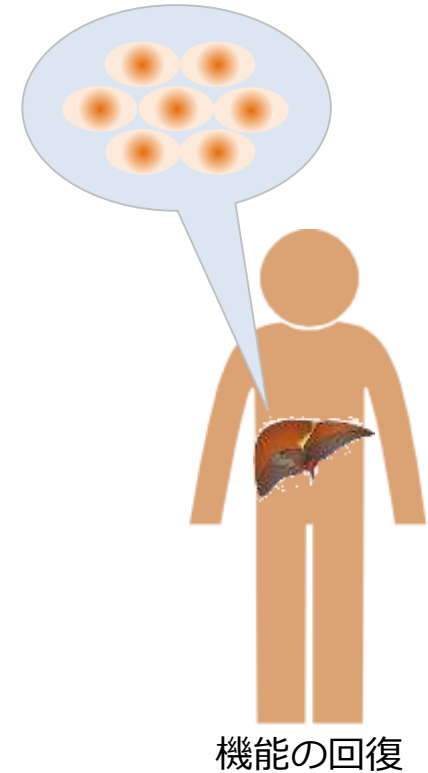


iPSC再生医薬品
iPS細胞から作られた目的細胞



置換

損傷した組織（細胞）を
iPSC再生医薬品で置き換える



4. iPSC再生医薬品分野の詳細

Step 1

疾患をiPS細胞で治療する

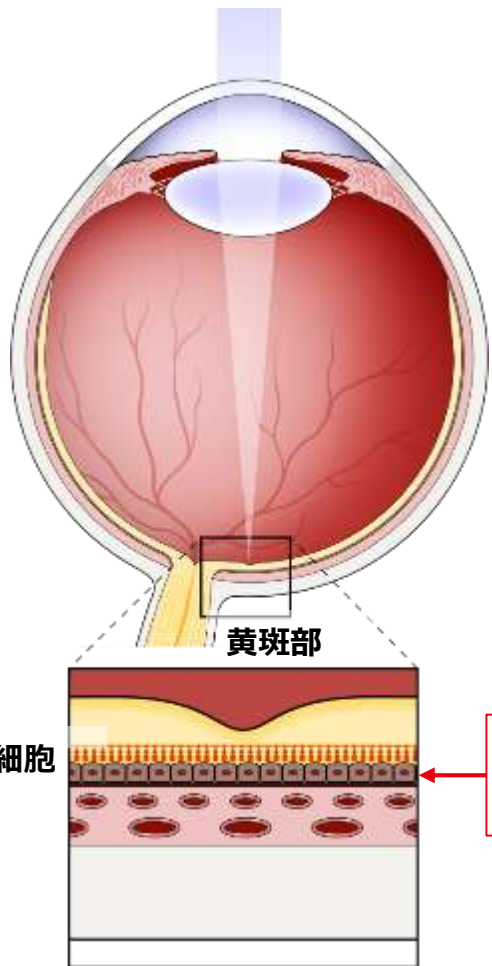
▶ Step 2

加齢黄斑変性と市場規模

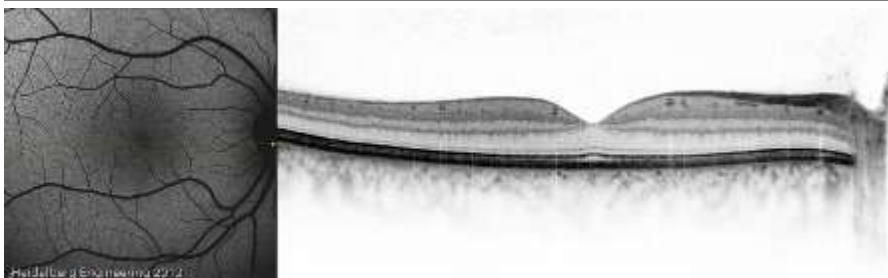
Step 3

RPE細胞医薬品の上市にむけたストラテジー

加齢黄斑変性を発症すると網膜色素上皮細胞 (RPE) が変性し機能が損なわれる

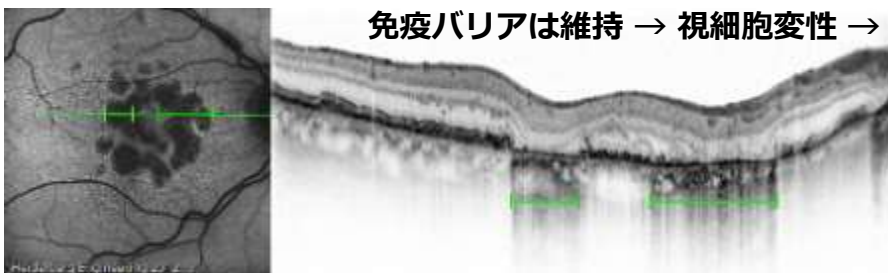


正常黄斑部



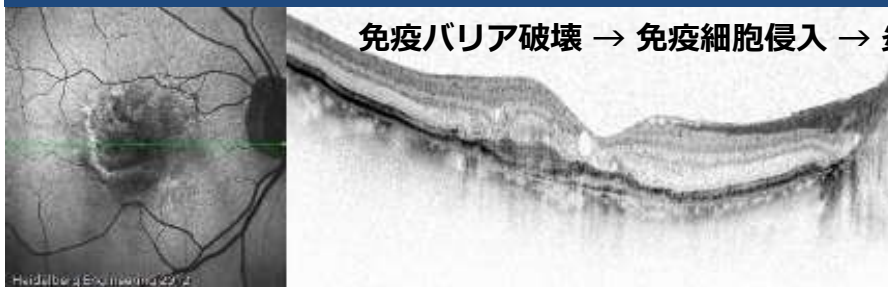
進行した萎縮型加齢黄斑変性 (Dry AMD)

免疫バリアは維持 → 視細胞変性 → dry AMD

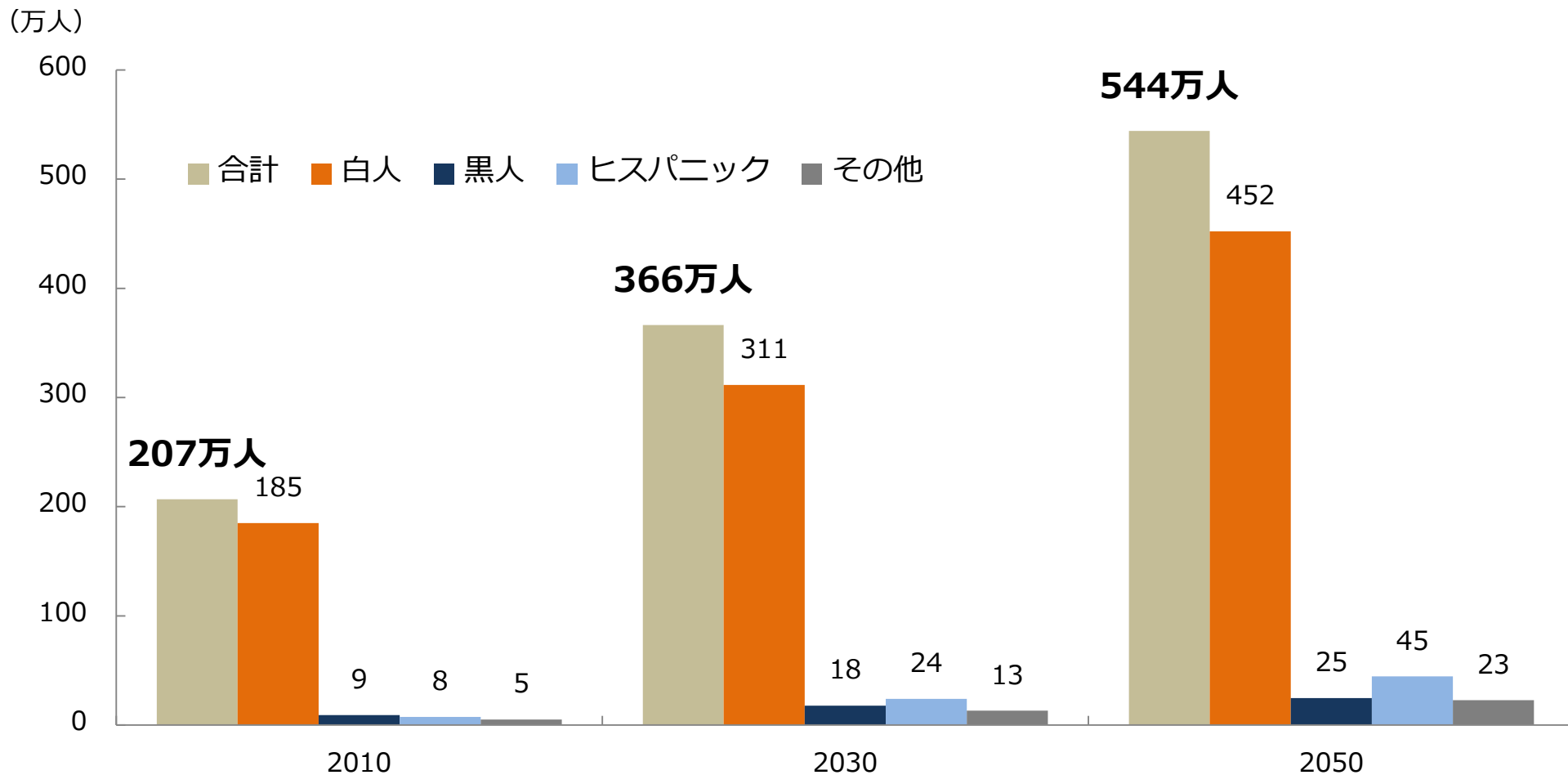


滲出型加齢黄斑変性 (Wet AMD)

免疫バリア破壊 → 免疫細胞侵入 → 炎症 → wet AMD





Wet・Dryともに重度の罹患者数は非常に多い



(出所) 米国国立眼病研究所(National Eye Institute)

Wet・Dryともに軽症罹患者も含め罹患者数は非常に多い

| | 米国  | 日本  | 欧州その他 |
|--------------|--|--|-------------|
| AMD罹患者数 | 1,000万人 | 923万人 | 1,300万人 |
| 重度のAMD罹患者数 | 200万人 | 69万人 | 260万人～322万人 |
| 重症化したWet罹患者数 | 100万人～150万人 | 63万人 | 130万人～195万人 |
| 重症化したDry罹患者数 | 85万人～90万人 | 6万人 | 110万人～117万人 |


※日本国内の総患者数は、九州大学大学院医学研究科が福岡県で実施している久山町研究データ（常に40歳以上の住民の8割以上を検診するなど非常に徹底した調査に基づくことで知られる）に基づき、初期加齢黄斑症と後期加齢黄斑症（加齢黄斑変性）の発症率合計を人口統計データに乗じて算定している（2007）。また難病情報センターも同研究を受け、重度の後期加齢黄斑変性患者数は69万人と公表している。

米国の総患者数は米国国立眼科研究所が公表している軽度の加齢黄斑患者数と視野欠損を伴う患者数の合計値を掲載している。またDry/Wetは総患者数にAMDFが公表している発症率を総患者数に乗じて当社が算定した（2010）。

欧州の総患者データは論文データによるグレードごとの発症率に欧州人口統計を乗じて当社が算定。Wet/Dryは総患者データにAMDFの発症率を乗じて当社が算定した（2010）。

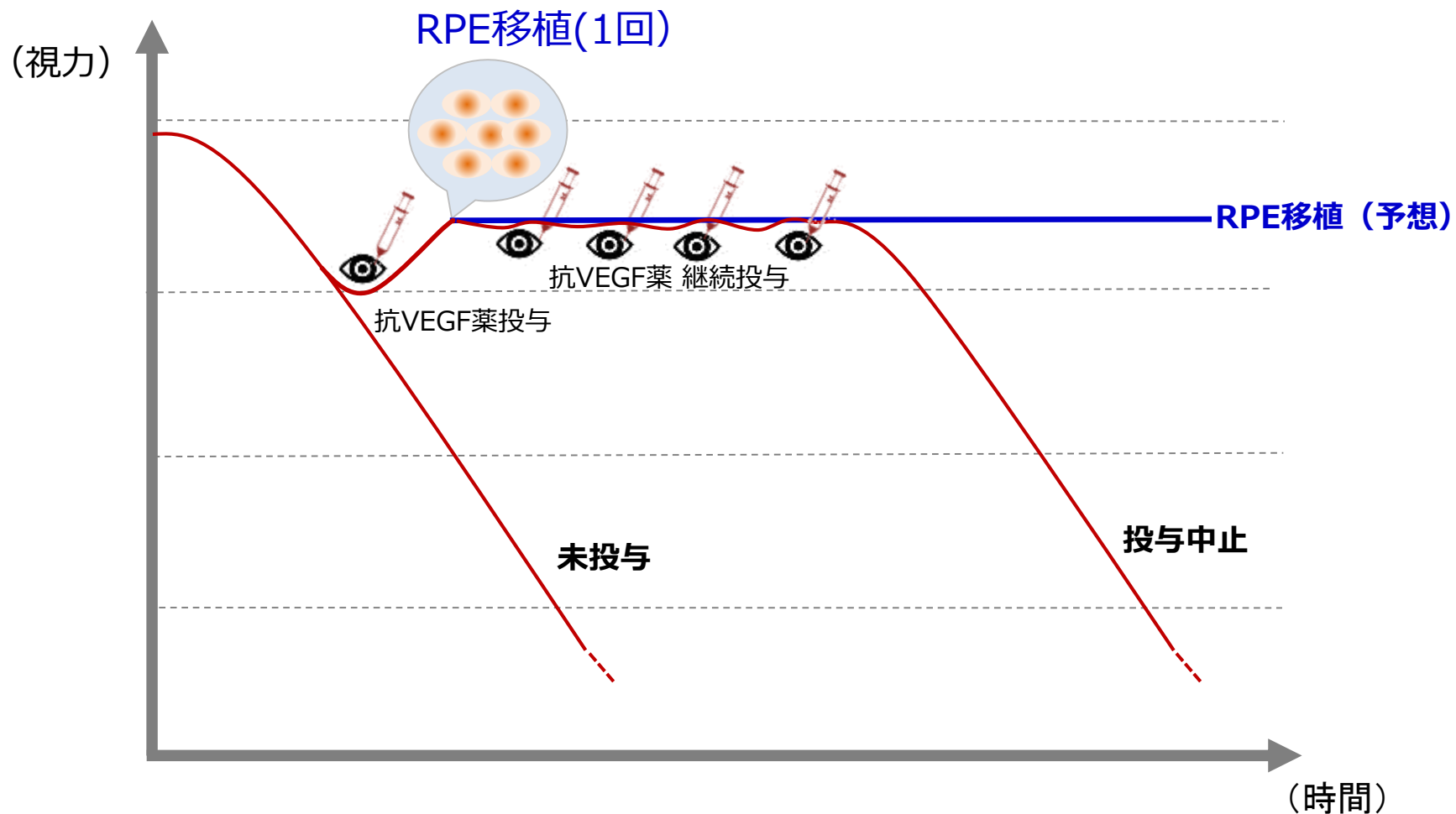
※出所論文：Prevalence of age-related maculopathy in older Europeans: the European Eye Study (EUREYE).Source: Arch Ophthalmol. 2006 Apr;124(4):529-35

Wet治療薬の年間売上は8,316億円、Dryは治療薬不在

| 病態 | 治療薬/ 効能 | 年度 | 地域別売上 | | | 合計 |
|--------------|------------------------|------|--|--|---------|---------|
| | | | 米国  | 日本  | 欧州その他 | |
| 滲出型 (Wet) | 抗VEGF薬/ 新生血管の 抑制 | 2013 | 3,636億円 | 380億円 | 2,947億円 | 6,963億円 |
| | | 2014 | 4,141億円 | 557億円 | 3,618億円 | 8,316億円 |
| 萎縮型 (Dry) | | | ← 治療薬なし → | | | |

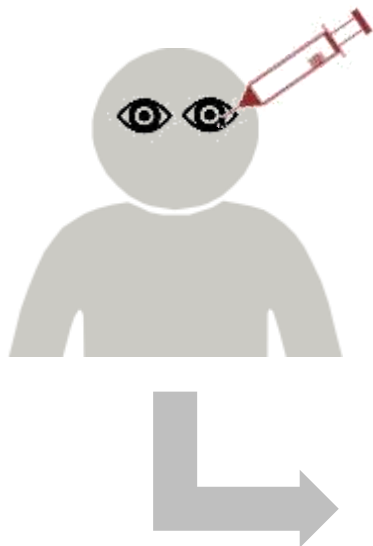
（出所）市場規模は製薬会社各社（Roche Diagnostic、Novartis、Regeneron、Bayer HealthCare、参天製薬）の公表資料より当社作成し適用拡大分を含む。為替レートは、2013年度末、2014年度末レートで換算。

早期治療を行うことで、より高い視力を維持できる

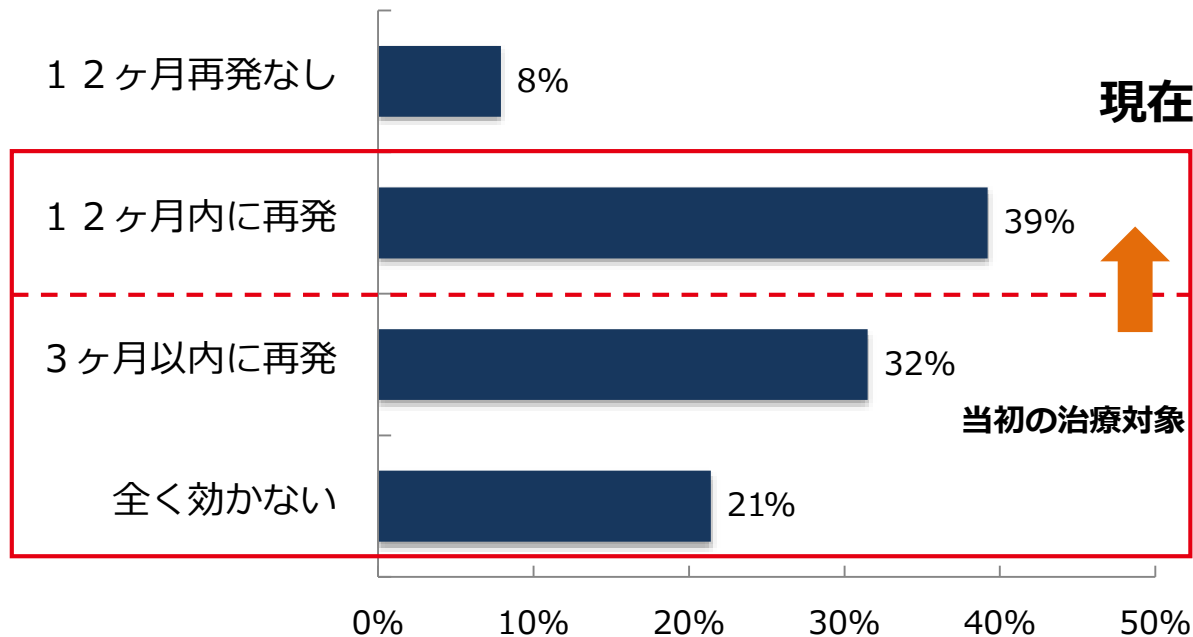


※本イメージはRPE移植の効果イメージを理解頂くことを目的としています。
抗VEGF薬投与による視力推移イメージは、各患者の症状や投与頻度等により上記と一律にはありません。

WetAMDの約92%を占める、1年以内に再発する罹患者層が治療対象候補



抗VEGF薬投与後の再発頻度



現在の治療対象候補
約92%

当初の治療対象

投与継続罹患者のQOLは高くない

(出所)第13回 日本再生医療学会 3月19日(木) 12:00~12:50
iPS細胞の臨床応用に向けてのアプローチ 理化学研究所 万代 道子

抗VEGF薬は多くの場合、継続治療が必要

年間医療費

$$\begin{array}{ccc} \text{抗VEGF薬の単価} & \times & \text{年間投与推奨プロトコル} & = & \text{年間治療費} \\ \mathbf{17\text{万円}} & & \mathbf{6\text{回}} & & \mathbf{102\text{万円}} \end{array}$$

生涯医療費の推定

平均寿命（日本）：80歳（男） / 86歳（女）を前提とした場合・・・

生涯医療費推定

$$\begin{array}{ccc} \leftarrow \text{50歳発症患者の治療継続期間} = \text{約} \mathbf{30\text{年}} \rightarrow & \times & \mathbf{102\text{万円}} & = & \mathbf{\text{約}3,000\text{万円}} \\ \leftarrow \text{60歳発症患者の治療継続期間} = \text{約} \mathbf{20\text{年}} \rightarrow & \times & \mathbf{102\text{万円}} & = & \mathbf{\text{約}2,000\text{万円}} \end{array}$$

(出所)発症データ：米国国立眼科研究所、平均寿命：厚生労働省、年間投与推奨プロトコル：理化学研究所発表資料

4. iPSC再生医薬品分野の詳細

Step 1

疾患をiPS細胞で治療する

Step 2

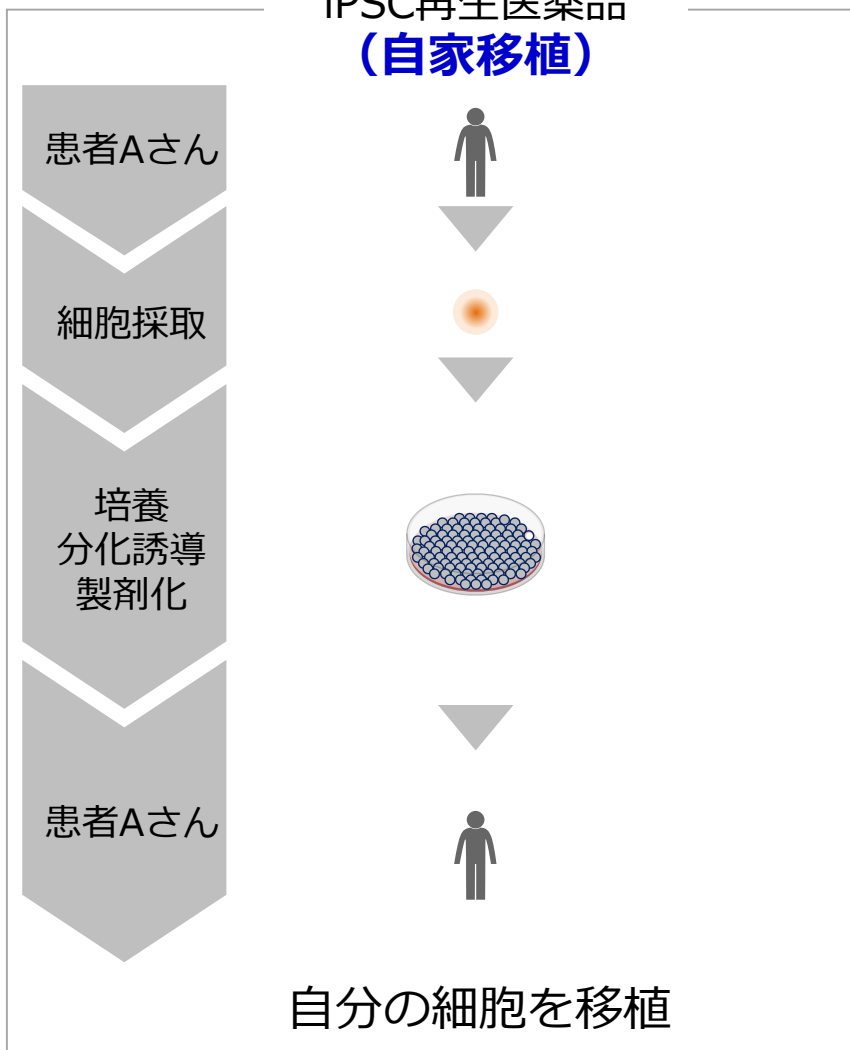
加齢黄斑変性と市場規模

▶ Step 3

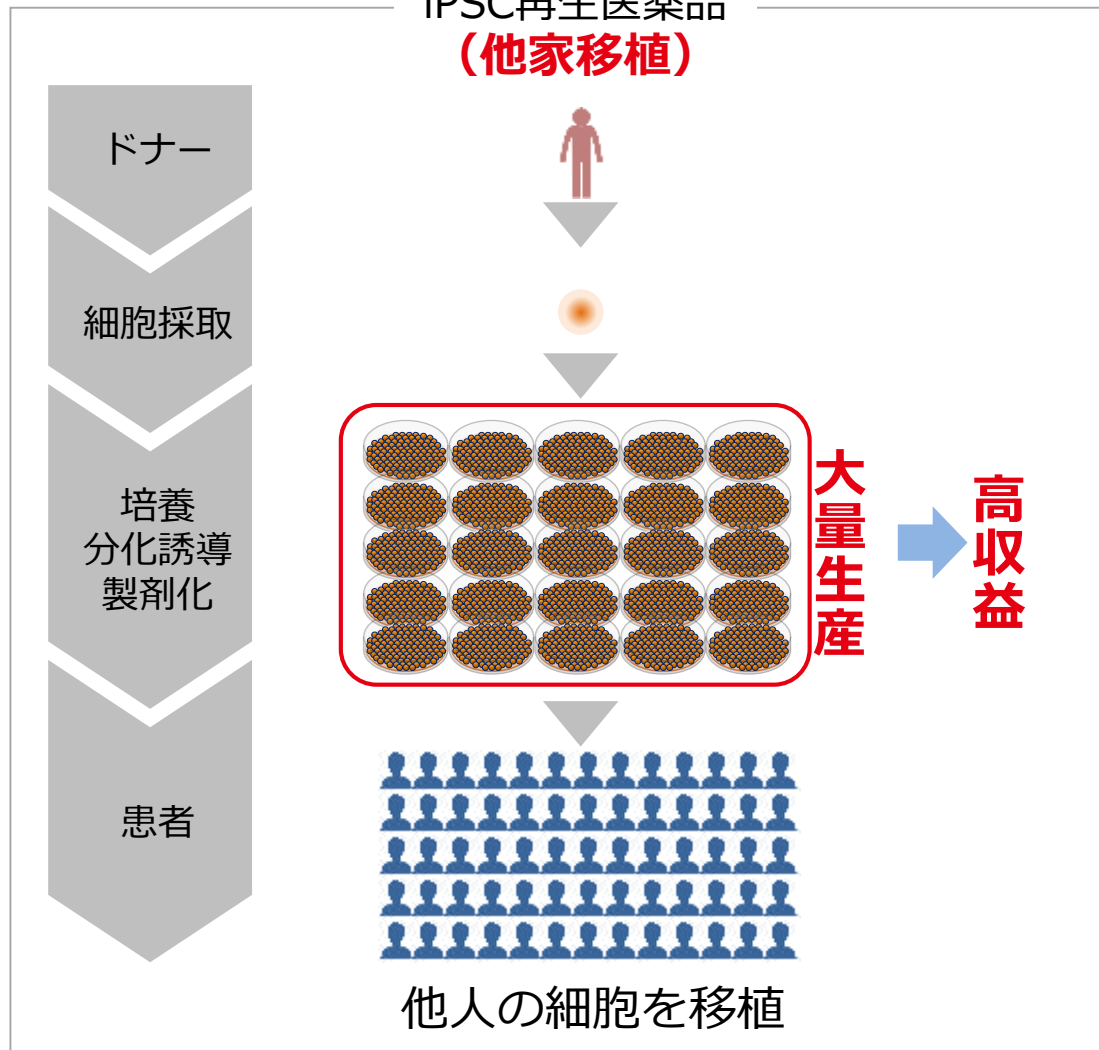
RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

当社は収益性の高い他家再生医療を手がける

iPSC再生医薬品
(自家移植)



iPSC再生医薬品
(他家移植)



大日本住友製薬との提携により国内バリューチェーンは整った

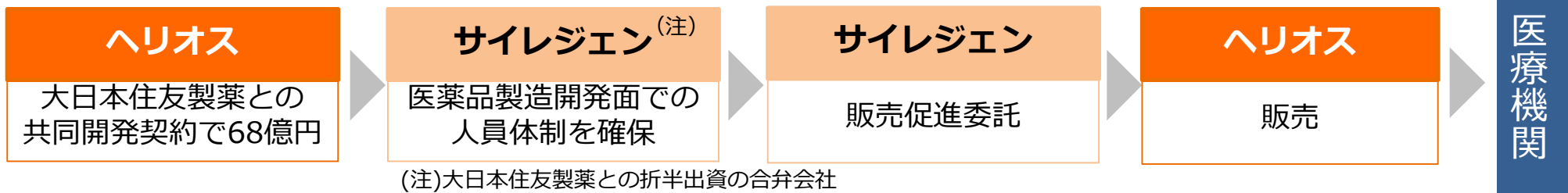
開発

製造

マーケティング

販売

● 国内での開発・販売・製造体制は確立の目途がたった



アライアンスを構築し、欧米市場を戦略的に開拓してゆく



(注) POC : Proof of Conceptの略で、ここでは主として有効性の裏付けとなるデータ等を得ることを意味します。

5. 3次元臓器（肝臓）への展開

臓器再生の第一人者



横浜市立大学大学院医学研究科 谷口英樹教授

1995年 筑波大学大学院医学研究科を卒業
筑波大学附属病院に勤務
2002年 横浜市立大学医学部教授
2003年-2008年 理化学研究所
発生・再生科学総合研究センター
研究ユニットリーダー(兼任)
2003年-現在 同大学大学院医学研究科
臓器再生医学教授(現職)

ヒト臓器創出の気鋭の研究者



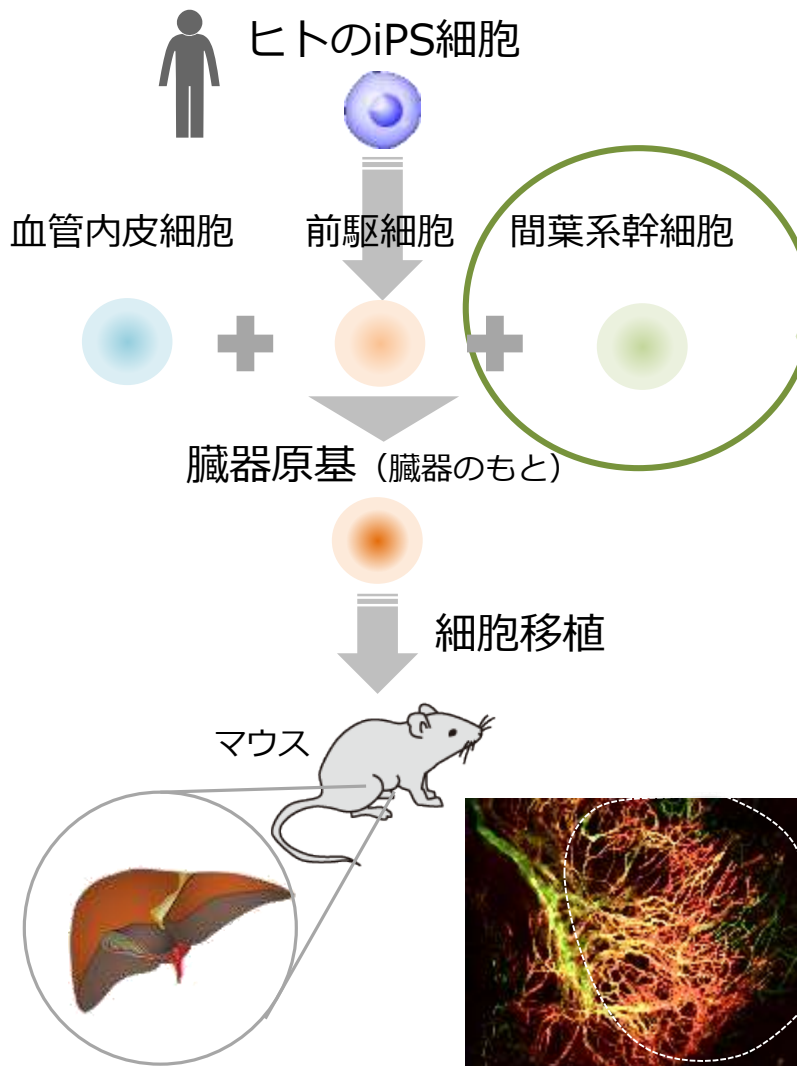
横浜市立大学大学院医学研究科 武部貴則准教授

2009年 米スクリプス研究所(化学科) 研究員
2011年 横浜市立大学医学部医学科を卒業
同大学大学院助手
臓器再生医学教室勤務
2013年-現在 同大学大学院医学研究科
臓器再生医学准教授(現職)
2015年-現在 シンシナティー小児病院
小児科消化器部門准教授(兼任)

- 2013年7月 科学誌「Nature」掲載:**IPS細胞から血管構造を持つ機能的なヒト臓器創出に世界初の成功**
- 2013年12月 科学誌「Science」掲載:**「科学ブレークスルー・オブ・ザ・イヤー」(世界10大ニュース)に選出**
- 2014年度「ベルツ賞*」受賞:**臓器再生医学 谷口英樹教授、武部貴則准教授の論文が選出**
*日本とドイツ両国の医学領域交流関係を深めていく目的で、ベーリンガーインゲルハイムが1964年に創設した伝統のある医学賞

(出所) 「横浜市立大学大学院医学研究科 臓器再生医学 HP」を参考にヘリオス作成
<http://www-user.yokohama-cu.ac.jp/~saisei/index.html>

3種類の細胞の共培養により肝臓のもと（肝臓原基）の創出に成功



ライセンス締結をした
MultiStemの利用可能性の検討

MultiStemの大量供給の検討



血管を持つヒトの肝臓に成長

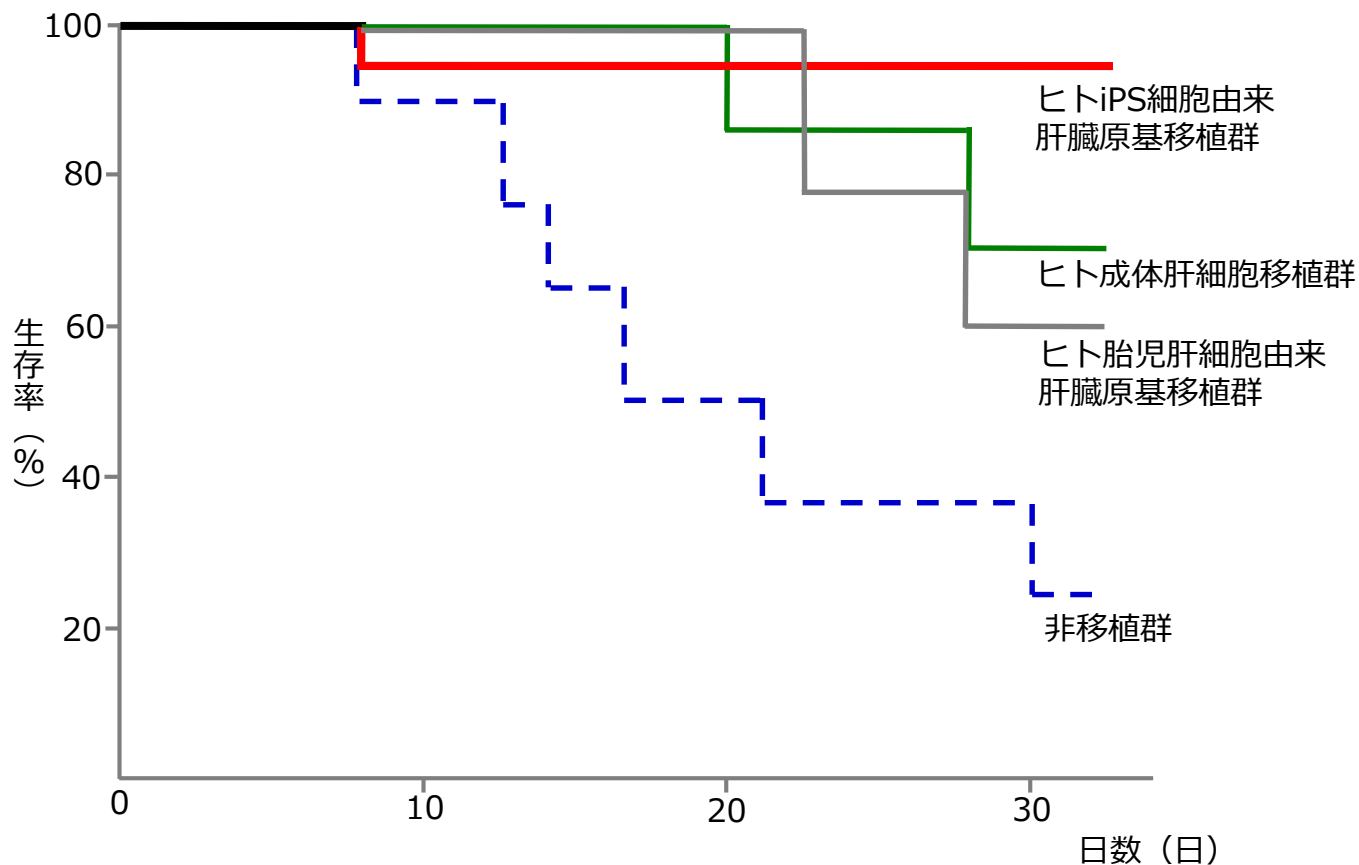
(出所) Athersys社資料



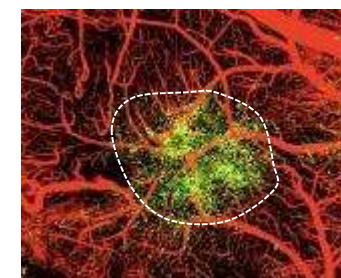
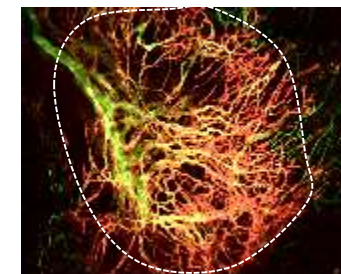
(出所) 科学技術振興機構
サイエンスニュース「細胞から組織・臓器へ 再生医療の多様なアプローチ」(2013年10月3日配信)
<https://sciencechannel.jst.go.jp/M130001/detail/M130001005.html>

移植実験では生存率が有意に改善～血管網の形成が鍵

ヒトiPS細胞由来肝臓原基移植の治療効果



臓器原基から形成された臓器がマウスの血管網と自律的に繋がる過程



(出所) Takebe, T, et al. Nature, 499 (7459), (2013)を基にヘリオス作成

(出所) Takebe, T., et al. Nature Protocols, 9, 396-409 (2014)


横浜市立大学は2019年に臨床研究を開始予定

尿素サイクル異常症

肝臓においてアンモニアを解毒し尿素を産生する代謝経路（尿素サイクル）で働く酵素に、先天的な異常があることで発症する疾患。現在、根治治療は肝臓移植しか存在しない。

※軽症例においても食事療法と薬物療法により、アンモニア値の低下を図る治療を生涯にわたり続ける必要がある。

推定される市場規模

| | 米国  | 日本  | 欧州 | 合計 |
|--------------------|--|--|---------------|----------------|
| | 患者数（年間） | 約160人 | 約30人 | 約230人 |
| 治療費（年間） ：酵素補充療法 | 3,000万～5,000万円 | | | |
| 年間推定市場規模 | 50億 ～80億円 | 10億 ～15億円 | 60億 ～115億円 | 120億 ～210億円 |

* 当社にて新生児数および発生率を基に、患者数・市場規模を推定

肝臓移植の代替治療に向けた研究開発を想定

| | 肝臓移植 | | | 合計 |
|----------|----------|-------|---------|------|
| | 米国 | 日本 | 欧州 | |
| 実施患者数(年) | 約6,000人 | 約400人 | 約4,000人 | 約1万人 |
| 待機患者数(年) | 約15,000人 | 約400人 | 約4,000人 | 約2万人 |

(出所) 「日本肝移植研究会」「UNOS」「Eurotransplan」「UK Transplant」「Agence de la biomédecine」「Scandia Transplant」公表資料を基にヘリオス作成

将来的な注目疾患は肝硬変

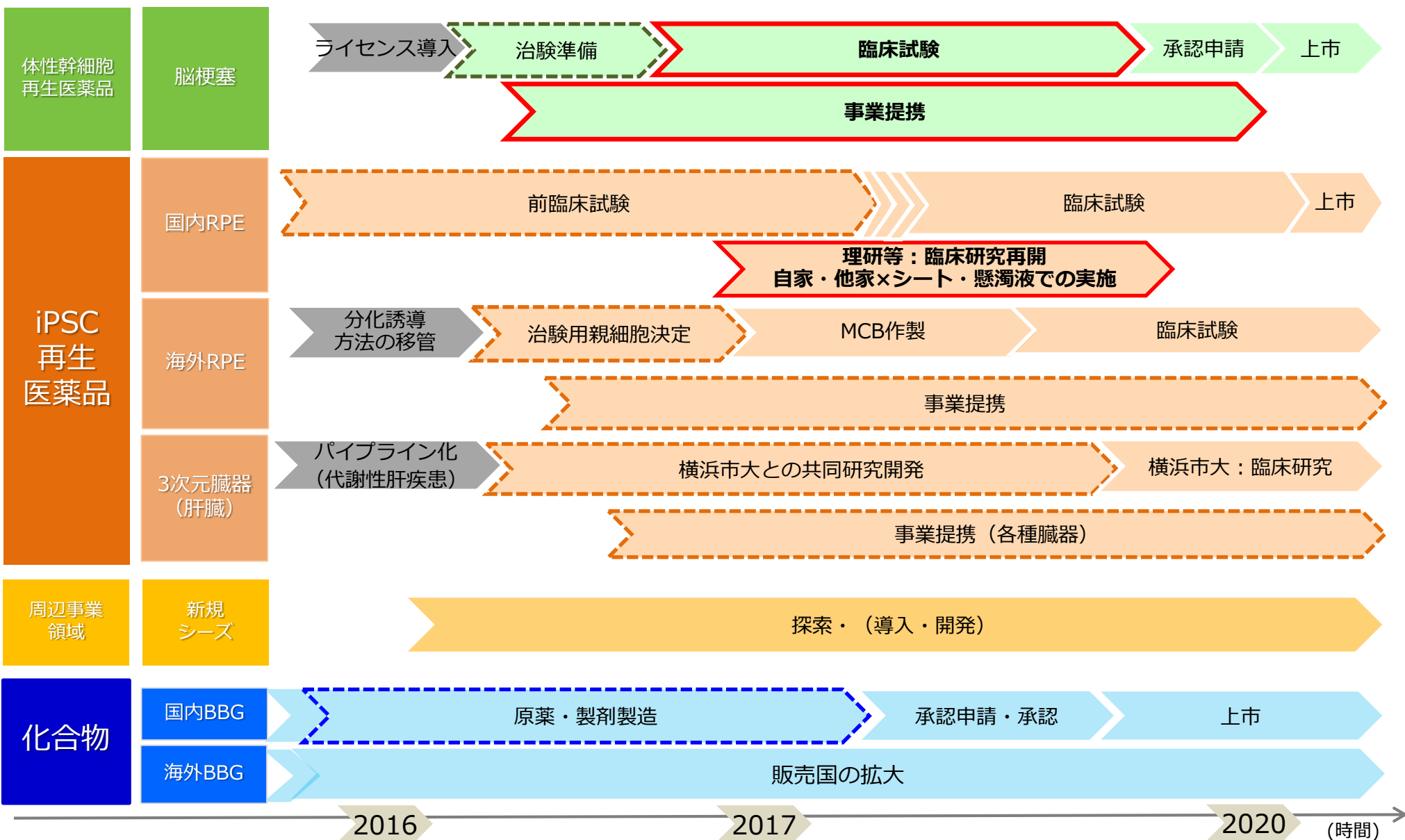
肝硬変の国内推定患者数：40～50万人、医療機関を受診している肝硬変患者数約56,000人、国内年間死亡者数約17,000人
 (出所) 「平成23年患者調査」、「肝がん白書2015」

肝臓病の進み方



6. ニュースフロー

主要ニュースフローまとめ



7. 会社概要

会社概要

| | |
|------|-----------------------------|
| 社名 | 株式会社ヘリオス（東証マザーズ 証券コード：4593） |
| 代表者 | 代表取締役社長兼CEO 鍵本 忠尚 |
| 本社 | 東京都港区浜松町2-4-1 世界貿易センタービル15階 |
| 資本金 | 53億80百万円(2016年6月末時点) |
| 従業員数 | 52名(2016年6月末現在) |
| 研究所 | 神戸研究所、横浜研究所 |
| 関連会社 | 株式会社サイレジェン（大日本住友製薬との合併会社） |

起業への想い

- **加齢黄斑変性治療法確立を初心に起業**し、難治性疾患に治療法を与えることができる製薬会社を作り上げることを決意。
- アキュメンバイオファーマを設立（後にヘリオスに事業譲渡）し、BBG250の治験を行って、DORC社（蘭）と契約を結び、**欧州で発売を開始**。
- その実績を高橋政代氏を擁する理化学研究所に評価頂き、加齢黄斑変性の根治治療となり得る**iPS細胞の製品化第一号**を目指し、網膜色素上皮細胞の実用化を担うことになった。

日・米・欧での開発に向けた万全の布陣を敷く

眼科のエキスパート



**代表取締役社長兼CEO
鍵本 忠尚**

- BBGの開発に成功し、欧州等での販売を実現

加齢黄斑変性のエキスパート



**取締役 海外開発領域管掌
アル・リーブス**

- ルセンティスをノバルティスにてグローバル開発（責任者）（米国を除く）

免疫抑制剤開発のエキスパート



**取締役 研究・生産領域管掌
神戸研究所長
田村 康一**

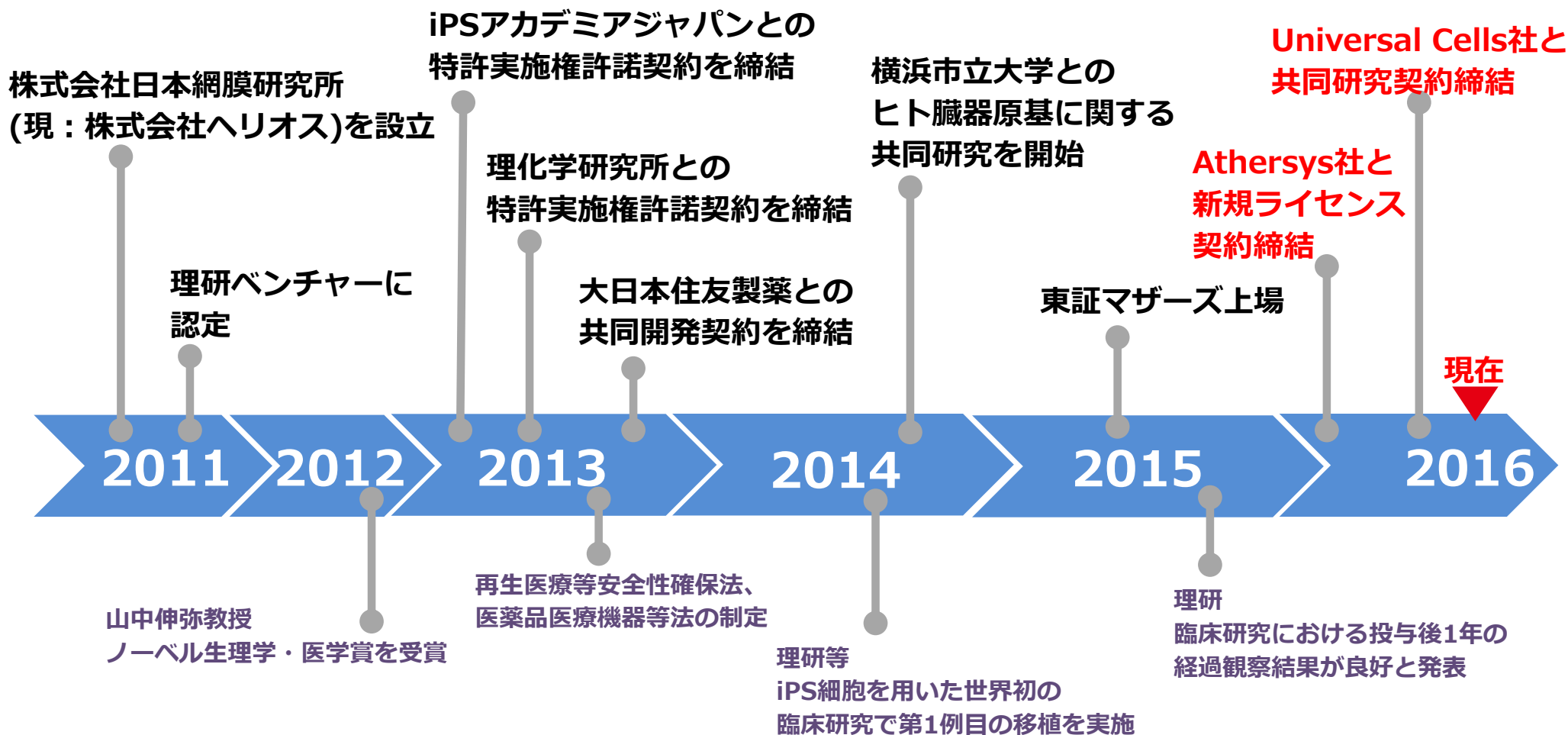
- アステラス米国研究所長
- 免疫抑制研究に精通



**取締役 国内開発領域管掌
西山 道久**

- アステラスにて米国・欧州でタクロリムス承認取得・販売網の構築

iPSC再生医薬品開発のパイオニア企業



8. Appendix

治験製品が投与された全症例の解析 – 安全性

- 治験製品が投与された全症例の解析にて、プラセボに比べて劣らない安全性成績であった。

| 投与90日後の結果 | MultiStem (n=65) | プラセボ (n=61) | 群間差 |
|----------------|---------------------|----------------|-----------|
| 治験開始時のNIHSSスコア | 13.4 | 13.3 | – |
| 死亡率 | 6.2% | 14.8% | 8.6% |
| 生命を脅かす有害事象及び死亡 | 10.8% | 24.6% | 13.8% * * |
| 二次性感染症 | 36.9% | 47.5% | 10.6% |
| 尿路感染症 | 18.5% | 27.9% | 9.4% |
| 入院日数 | 7.9日 | 9.8日 | 1.9日 |

NIHSS : National Institute of Health Stroke Scale 神経症状障害度

* * : $p \leq 0.05$

治験製品が投与された症例の二次解析 – 有効性

- 発症後36時間以内にMultiStemを投与された対象による二次解析にて、投与90日後にプラセボに比べて有意に良好な回復を示した。

| 投与90日後の結果 | MultiStem (n=27)※ | プラセボ (n=52)※ | 群間差 |
|--|----------------------|-----------------|-------------|
| 治験開始時のNIHSSスコア | 12.9 | 13.4 | – |
| 優れた転帰の症例 (mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上) | 18.5% | 3.8% | 14.7% * * |
| 包括的に回復した症例 (mRS 2以下、NIHSS 75%以上改善かつBI 95以上) | 44.4% | 17.3% | 27.1% * * * |
| mRS ≤ 2 | 48.1% | 30.8% | 17.3% |
| NIHSS Δ > 75% | 51.9% | 30.8% | 21.1% * |
| Barthal Index ≥ 95 | 55.6% | 38.5% | 17.1% |

※tPA及び機械的塞栓回収術を併用した症例を除く

mRS: modified Rankin Scale 概括障害度

BI: Barthel Index 日常生活動作指標

* : $p \leq 0.10$

* * : $p \leq 0.05$

* * * : $p \leq 0.01$

NIHSS: NIH Stroke Scale 神経症状障害度

(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

投与90日間と365日間での“優れた回復症状（Excellent Outcome）”の群間差

| 患者群 | 90日間 | 365日間 |
|---------------------------------|-------|---------|
| 脳梗塞発症後48時間以内のMultiStem投与群（n=65） | 15.4% | 23.1% |
| 脳梗塞発症後48時間以内のプラセボ投与群（n=61） | 6.6% | 8.2% |
| 群間差 | 8.8% | 14.9%* |
| 脳梗塞発症後36時間以内のMultiStem投与群（n=31） | 16.1% | 29.0% |
| 群間差 | 9.5% | 20.8%** |

※優れた回復症状（Excellent Outcome）とは、脳梗塞の改善を測る3つの代表的指標がそれぞれ
mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上に該当する状態

* : p=0.02 ** : p< 0.01

（出所）Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

2015年11月26日、再生医療等製品の保険収載

| | | |
|-----|---------------------|----------------------|
| 製品名 | テムセル®HS注 | ハートシート |
| 会社名 | JCRファーマ株式会社 | テルモ株式会社 |
| 適応症 | 造血幹細胞移植後の急性GVHD | 虚血性心疾患による重症心不全 |
| 薬価 | 1クール 約1,390万円 | 1治療あたり1,476万円 |
| 備考 | 国内初、他家由来再生医療等製品の本承認 | 早期承認制度導入後初の条件及び期限付承認 |

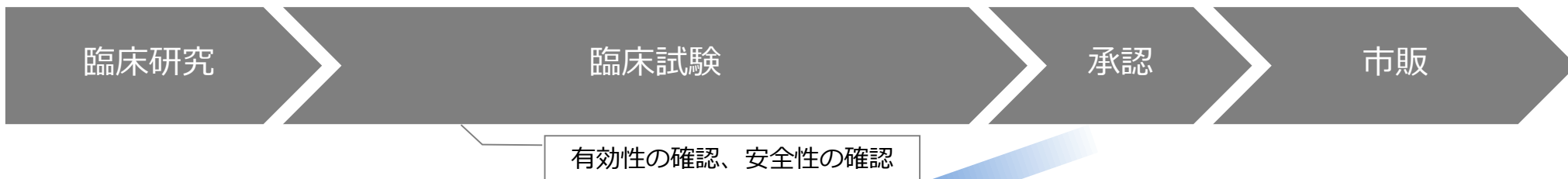
薬価算定方法の見込み

原価計算方式

※新薬の薬価は、類似の薬効を有する既収載品目の薬価に合わせて算定（類似薬効比較方式）が原則とされているが、既収載品目の中に適切な類似薬がない場合には、必要経費の積み上げに基づく薬価算定（原価計算方式）が行われる。

再生医療等製品に特化した新制度導入

これまでの開発プロセス



早期承認制度を導入した開発プロセス



- 早期承認制度では治験期間・症例数（数十症例程度）は**大幅に減少**
- 早期承認時から**保険収載**される

本資料中の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。

なお、本資料は開発中又は上市済みの医薬品、再生医療等製品及び医療機器に関する情報を含んでおりますが、それらの情報は宣伝広告又は医学的アドバイスを目的とするものではありません。



Healios

「生きる」を増やす。爆発的に。

<お問い合わせ先>

株式会社ヘリオス 人事総務部

コーポレートコミュニケーショングループ

電話：03-5777-8308

報道関係者の方:pr@healios.jp

投資家の方:ir@healios.jp