



2018年3月13日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 へ り オ ス  
代 表 者 名 代表取締役社長 兼 CEO 鍵 本 忠 尚  
(コード番号：4593 東証マザーズ)  
問 合 せ 先 取締役 管理領域管掌 石 川 兼  
(TEL：03-5777-8308)

## 米国 Athersys, Inc との独占的ライセンス権・オプション権拡大に関する基本合意 及び戦略的投資に関するお知らせ

当社は2016年1月に、米国 Athersys, Inc. (以下、アサシス社といいます。) とライセンス契約を締結し、同社の開発する幹細胞製品 MultiStem®を用いて国内における急性期脳梗塞治療法の開発を進めており、現在第Ⅱ/Ⅲ相試験を実施しております。

また同時に、同社が米英で臨床試験を行っている急性呼吸促迫症候群 (ARDS) と整形外科領域疾患の2つの適応症に関して日本を対象とした開発に関する独占的なオプション権を取得しております。

当社は、本日開催の取締役会において、

- ①MultiStem に関する独占的ライセンス権及びオプション権拡大に関する基本合意の締結
  - ②アサシス社への戦略的投資
  - ③本契約締結までのエスクロー (第三者機関へ預託すること) への預託設定
- を決定いたしましたのでお知らせいたします。(これら3点の合意につき、以下、本合意、といいます。)

### 1. アサシス社との本合意の目的

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、『iPSC 再生医薬品を活用し、世界中の患者さんに治癒と希望を届ける。世界中に承認販売まで自社で行う体制を構築し、全ての人から Respect を受けるバイオ企業を確立する。』というビジョンを推し進めて参りました。

そのミッション・ビジョンを実現するため

#### ① 短期戦略：

3年程で日本国内において、承認の目途が立つ開発パイプラインであり、当社の経営基盤強化 (収益体制、製造研究開発販売体制) に資する開発品

#### ② 長期戦略：

世界でデファクトスタンダードの地位を築く革新的基盤技術という、事業拡大戦略に基づき、①で得られたノウハウ・収益を②へ戦略的に投資し、持続的爆発的成長を果たすという、ハイブリッド戦略を推し進めて参りました。

本合意は、この2つの観点からも当社の企業価値向上に貢献するものと考えております。

#### ①短期戦略への貢献：

MultiStem を用いた細胞医薬品 HLCM051 は、脳梗塞急性期という、その患者数の増加に対して治療法がまだまだ限られておりアンメットメディカルニーズの高い疾患を対象としていることに加えて、日本の新たな再生医療等製品に対する規制を活用し早期に承認を得られる可能性の高い治療法と考えられ、その開発は早期の当社の企業価値向上に大きく貢献する可能性があるかと判断しております。現在、HLCM051 は先駆け審査指定制度の指定を受け、第Ⅱ/Ⅲ相試験を実施中であります。加えて、承認取得後にむけて日本国内での生産体制の構築が (株) ニコン・セル・イノベーションにおいて進んでおり、更に適応疾患を拡大する為の基盤も整ってまいりました。

た。

そこで、本合意において、現在取得しているオプション権を一部変更し、よりアンメットメディカルニーズの高い領域である外傷性疾患と ARDS の国内における開発ライセンス権の取得を検討します。ARDS はアンメットメディカルニーズが極めて高く、本邦における治療薬が求められており、HLCM051 同様、比較的短期間で当社企業価値を大きく引き上げる可能性が十分にあると考えております。

さらに、本合意には、世界第二位の医薬品市場である中国における急性期脳梗塞、外傷性疾患領域、呼吸器疾患の開発販売オプション権も含まれております。

これらは当社の短期戦略である収益体制の強化に役立つものと判断しております。

## ②長期戦略への貢献：

提携後 2 年 2 か月の研究成果として、MultiStem には、それ自体がいくつかの疾患に対して細胞医薬品となりうる可能性のみならず、その免疫抑制等に対する作用機序から、当社の開発する iPSC 再生医薬品の開発においても活用できる可能性のあることが判明しました。

例えば、公立大学法人横浜市立大学と共同研究開発を進めている、プラットフォーム技術である臓器原基 (organ bud) を移植することで、生体内にヒト臓器を創り出す再生医療製品の開発に関しても、その必須構成細胞のひとつである間葉系幹細胞として MultiStem が使われる可能性があります。当社は現在、肝臓原基に関するオプション権のみを保有しておりましたが、この基本合意において、臓器を限定せずグローバルに独占的に使用するライセンス権への切り替えを検討いたします。

また、MultiStem と iPSC 細胞医薬品との併用による免疫抑制効果や、眼科疾患への適応可能性などの知見も得られ、当社の長期戦略とのシナジー効果が期待されます。

このように、アサシス社の開発する MultiStem は、短期的に収益向上をもたらす可能性がある複数のパイプラインとして当社の経営基盤強化につながることに加えて、当社の開発する iPSC 再生医薬品分野においても活用の可能性があり、再生医薬品開発において重要な要素技術となりうる可能性があります。このような重要技術を開発するアサシス社との提携関係の強化も重要であると考え、総合的な事業判断として本合意に至りました。

## 2. 本合意の詳細

(1) MultiStem に関する独占的ライセンス権・オプション権拡大に関する基本合意の概要は以下の通りです。

### ①独占的ライセンス権

- 日本国内：ARDS 及び外傷性疾患の開発・販売
  - 全世界：臓器原基全適応での MultiStem を併用した開発・販売
  - 全世界：MultiStem 単体での眼科疾患治療法開発・販売
  - 全世界：iPS 細胞由来網膜色素上皮 (RPE) 細胞製品と MultiStem 併用療法の開発・販売
- 他、複数の権利

### ②独占的オプション権

中国における、急性期脳梗塞、ARDS 及び外傷性疾患の開発・販売

本日、上記条件を含む法的拘束力のある基本合意に至り、2018 年 4 月中のライセンス権・オプション権拡大契約締結を目指しております。

なお、当社が本契約を締結する場合には、対価として総額 35 百万ドルを支払いますが、その支払内容は以下の通りです。

### 10 百万ドル：本日の基本合意締結をもってエスクローへ預託

この預託金は、本契約締結の際には、当該権利の取得対価に充当されます。一方、当社が本契

約を締結しないことを決定した場合には、現行契約に基づくオプション権の行使（日本国内での ARDS、肝臓原基及び眼科疾患の開発・販売権）に際して充当することができます。

### 25 百万ドル：本契約締結時から支払い開始

本契約締結に際して残額 25 百万ドルが当社からアサシス社へ支払われます。一方、25 百万ドル全額が、将来急性期脳梗塞、ARDS ならびに外傷性疾患に関して開発が成功した際に当社からアサシス社へ支払い義務の発生するマイルストーン金から減額されます。尚、支払いは、本契約締結から四半期毎に 2.5 百万ドルずつ、2 年 6 ヶ月（10 回）に渡って行われます。

#### （2）アサシス社に対する戦略的投資

当社は、上述の通り重要技術を開発するアサシス社との提携関係強化のため、同社が新たに発行する同社株式 1,200 万株を 1 株当たり 1.76 ドル（2018 年 3 月 12 日のアサシス社株価終値 1.55 ドルに対して 13.5 %のプレミアムを上乗せした金額）にて取得いたします。この総額約 21 百万ドルの戦略的投資によって、当社はアサシス社の発行済株式数の 8.7%を取得し筆頭株主となります。また当社代表取締役兼 CEO 鍵本忠尚は、2018 年 6 月に開催されるアサシス社定時株主総会での承認を経て同社取締役へ就任する予定であります。

この戦略的投資に加えて、当社はアサシス社の既存発行済株式の最大 19.9%の株式取得が可能となる権利を付与される予定です。

本合意に関し、当社代表取締役兼 CEO 鍵本忠尚は以下のように述べています。「本合意により、アサシス社と一層強固な提携関係を結び、MultiStem を活用して様々なアンメットメディカルニーズの高い分野での再生医療の実用化をさらに加速できると考えております。」

また、アサシス社 CEO である Gil Van Bokkelen 氏は「本合意は、アサシス・ヘリオス両社にとって非常に重要な機会であります。ヘリオスに対して広範な権利拡大の可能性を提供することとなり、また当社にとっては資本強化に加えて、中国という重要なエリアにおける開発パートナーをも得たこととなります。我々のパートナーシップは今以上に意義深いものとなるでしょう。」と述べています。

### 3. 相手先の概要

|                                       |   |  |
|---------------------------------------|---|--|
| (1) 名 称                               | Athersys, Inc.                                  |  |
| (2) 所 在 地                             | 3201 Carnegie Avenue Cleveland, Ohio 44115-2634 |  |
| (3) 代表者の役職・氏名                         | 代表取締役 CEO Gil Van Bokkelen                      |  |
| (4) 事 業 内 容                           | 再生医療等製品の研究・開発                                   |  |
| (5) 払 込 資 本 金                         | 329.4 百万ドル（2016 年 12 月 31 日現在）                  |  |
| (6) 設 立                               | 1995 年  |  |
| (7) 大株主及び持株比率<br>(2017 年 12 月 31 日現在) | 5%以上保有する株主はおりません                                |  |
| (8) 上場会社と当該会社との間の関係                   | 資 本 関 係   | 該当事項はありません。  |
|                                       | 人 的 関 係   | 該当事項はありません。  |
|                                       | 取 引 関 係   | 2016 年 1 月に、同社の開発する幹細胞製品 MultiStem®を用いて日本国内にて脳梗塞急性期の治療法開発を行うライセンス契約及び複数の適応症の開発に関するオプション契約を締結しており、以降友好的協業関係にあります。 |
|                                       | 関連当事者への該当状況                                     | 該当事項はありません。  |

| (9) 当該会社の最近3年間の連結経営成績及び連結財政状態 |           |           |           |  |
|-------------------------------|-----------|-----------|-----------|--|
| 決算期                           | 2014年12月期 | 2015年12月期 | 2016年12月期 |  |
| 連結純資産                         | 20.9百万ドル  | 19.7百万ドル  | 11.2百万ドル  |  |
| 連結総資産                         | 28.7百万ドル  | 25.1百万ドル  | 19.1百万ドル  |  |
| 1株当たり連結純資産額                   | 0.37ドル    | 0.30ドル    | 0.22ドル    |  |
| 連結売上高                         | 1.6百万ドル   | 11.9百万ドル  | 17.3百万ドル  |  |
| 連結営業損失                        | 29百万ドル    | 17.2百万ドル  | 15百万ドル    |  |
| 連結経常損失                        | 22.1百万ドル  | 16.4百万ドル  | 15.3百万ドル  |  |
| 1株当たり連結当期純損失                  | 0.29ドル    | 0.20ドル    | 0.18ドル    |  |
| 1株当たり配当金(ドル)                  | -         | -         | -         |  |

#### 4. 日程

|               |            |
|---------------|------------|
| (1) 取締役会決議日   | 2018年3月13日 |
| (2) 基本合意契約締結日 | 2018年3月13日 |
| (3) 本契約締結交渉期限 | 2018年4月30日 |

#### 5. 今後の見通し

上記のとおり、本合意に基づき、当社はアサシス社に対して総額約21百万ドルを支払い、アサシス社株式1,200万株を取得し、また10百万ドルをエスクローへ預託いたします。今後、本日締結した基本合意に基づき2018年4月末までにライセンス権・オプション権拡大契約を締結した場合には、エスクローに預託した上記10百万ドルはオプション費用に充当され、さらに25百万ドルをアサシス社に支払う可能性があります。

これらの支払いはいずれも手元資金にて賄う予定です。

今後、開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせいたします。

以上