



Healios

2018年12月期第3四半期 決算説明資料

2018年11月8日

株式会社ヘリオス

(東証マザーズ : 4593)

<https://www.healios.co.jp/>

目次

1	ミッション	P2
2	ガバナンス	P8
3	事業戦略	P13
4	HLCM051 脳梗塞	P18
5	HLCM051 ARDS	P25
6	HLCR011 AMD	P30
7	HLCL041 LIVER OrganBud	P41
8	決算概況	P47
9	参考資料	P50



3 elements



algorithm



設立時趣意書

(2011年2月24日)

世界の暦であるグレゴリオ暦が制定されたこの日に、
次世代のデファクトスタンダードとなる医療、医薬、医療機器を開発する為に
株式会社ヘリオスを設立いたしました。

「iPS細胞治療を医療現場に届ける事で世界中の人々に福音を届ける」
—これは大きな責任を伴います。しかしながら、我々がその責任を恐れる事はありません。

ゴールへ至る道は困難に満ちているでしょう。足跡も、地図も、道標もありません。

このゴールへ至る近道も無ければ、10年や20年の時間が、かかるかもしれません。
しかしながら、我々が本日ここに第一歩を歩み始める事は、誰も止める事は出来ません。
我々がゴールへ向けてチームを集め、努力をする事を、誰も止める事は出来ません。
我々は小さな点から始まり、その点は線を作り、その線は大きな道を作るでしょう。
大きな道はiPS細胞治療で助けられた患者さんの喜びに満ちているでしょう。

躊躇する必要はありません。

歩みを始めましょう。

使命

**「生きる」を増やす。
爆発的に。**

ビジョン

**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。**

行動規範

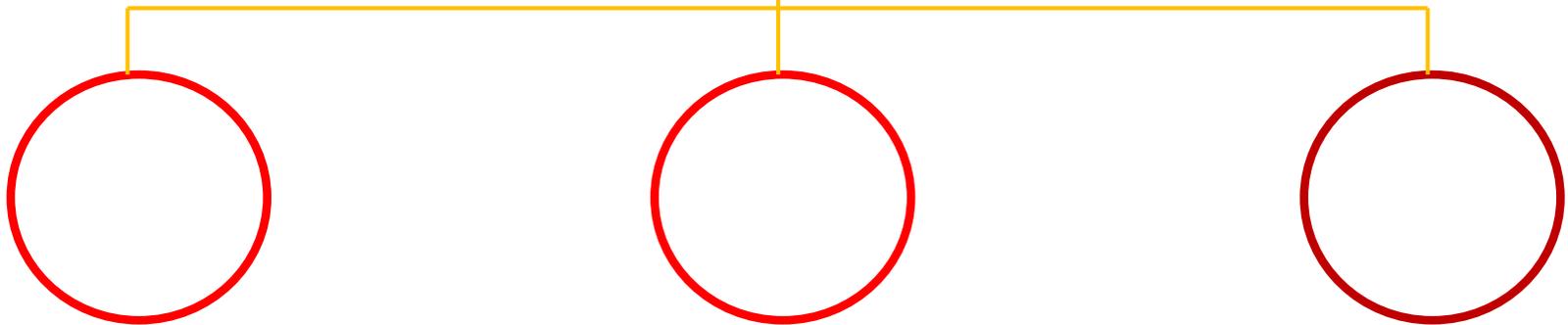
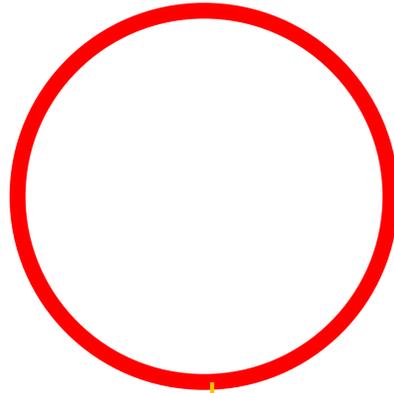
1. Patients
2. Path Finder
3. Jump in 60
4. Team Work
5. Look straight, Think straight, Talk straight
6. There is no bad weather, only bad clothing
7. Shining 100
8. Snowball



governance

governance

HEALIOS KK



ONL
(器官原基創生研究所)

Healios NA

Sighregen

Healios 経営陣

取締役



社外

**グレッグ
ボンフィリオ**

再生医療ベン
チャーへの投資
CCRM理事

社外

**マイケル
アルファント**

2013年より
ヘリオス取締役

社外

松田 良成

弁護士

社外

成松 淳

ヘルスケア・ITベン
チャーの社外役員を
重任

社外

樫井 正剛

元アステラス製薬
監査役

**リチャード
キンケイド**

投資ファンド経営

**デイビッド
スミス**

細胞製造における
豊富な経験

執行役



石川 兼

管理領域管掌
取締役



田村 康一

研究・開発領域管掌



鍵本 忠尚

代表執行役社長CEO
取締役



澤田 昌典

Chief Medical Officer



西山 道久

開発領域管掌

Healios NA



**デイビッド
スミス**

Chief Commercial Officer

ONL（器官原基創生研究所）

臓器原基技術の発明者である、谷口英樹教授・武部貴則教授が同社取締役役に就任

■プラットフォームとしての研究開発活動を促進

- ・ 様々な臓器を再生し、反復不要な治療で既存の治療法を凌駕するパイプラインを目指し、製剤検討、前臨床を進める
- ・ 創薬スクリーニング分野等での研究活動の主導
- ・ 次世代臓器再生に資するプラットフォーム技術の探索

谷口英樹取締役



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
2003年-同大学大学院医学研究科
臓器再生医学教授
2018年-同大学大学院 医学研究科
臓器再生医学主任教授（現職）
東京大学 医科学研究所
再生医学分野 教授（現職）

武部貴則取締役



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
2013年 同大学大学院医学研究科
臓器再生医学准教授
2015年 シンシナティ小児病院 准教授（現職）
2017年-同病院 幹細胞・オルガノイド医学
センター副センター長（現職）
2018年-横浜市立大学 先端医科学研究センター
教授（現職）
東京医科歯科大学
統合研究機構 教授（現職）

Healios NA

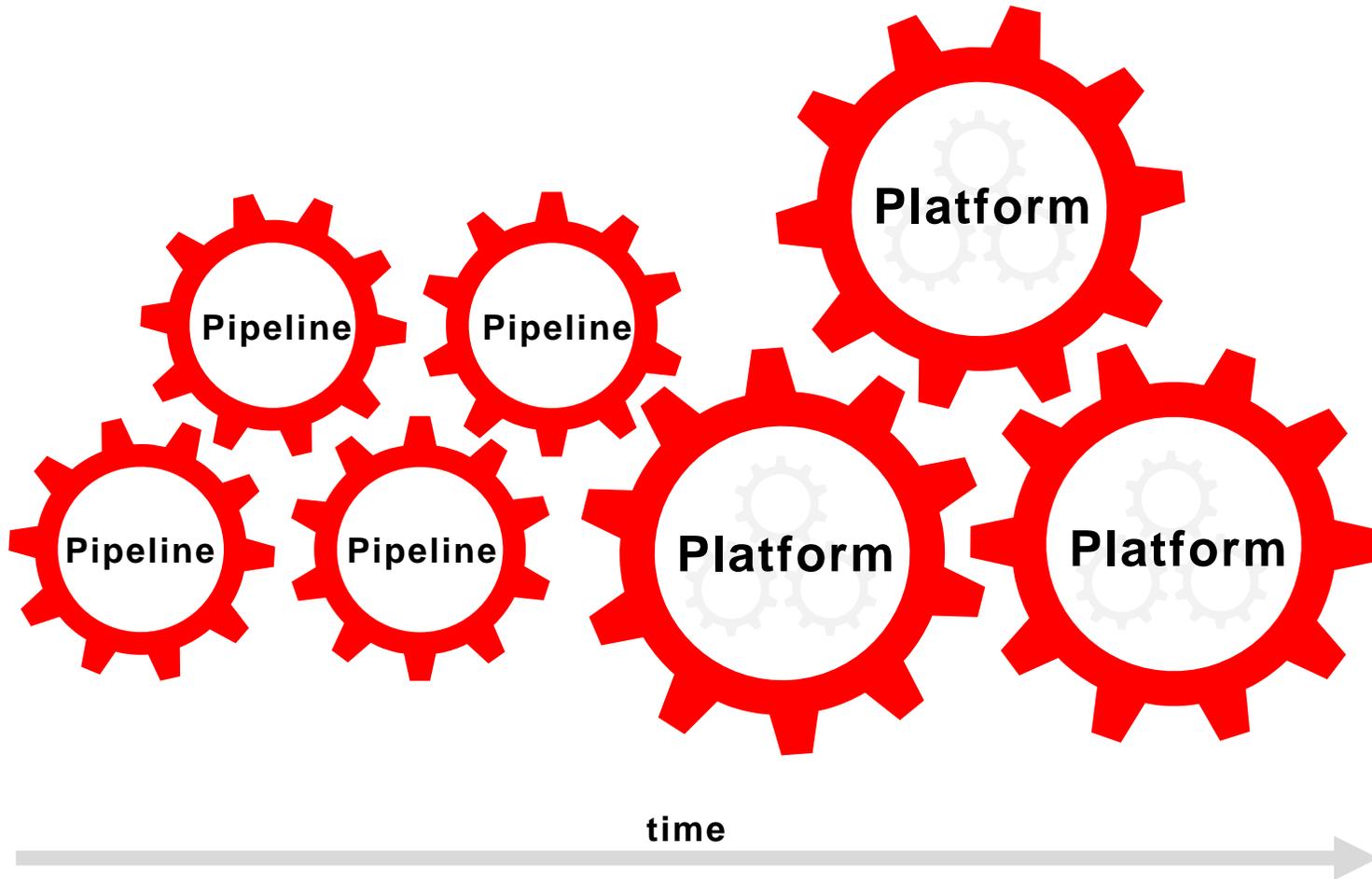
- ✓ 北米での情報発信、情報収集、企業提携の拠点として
サンドヒルロード（シリコンバレー）にオフィスを開設
- ✓ ロンザ社の米国における細胞製造事業を立ち上げた、
デイビッド・スミス氏がChief Commercial Officerに就任

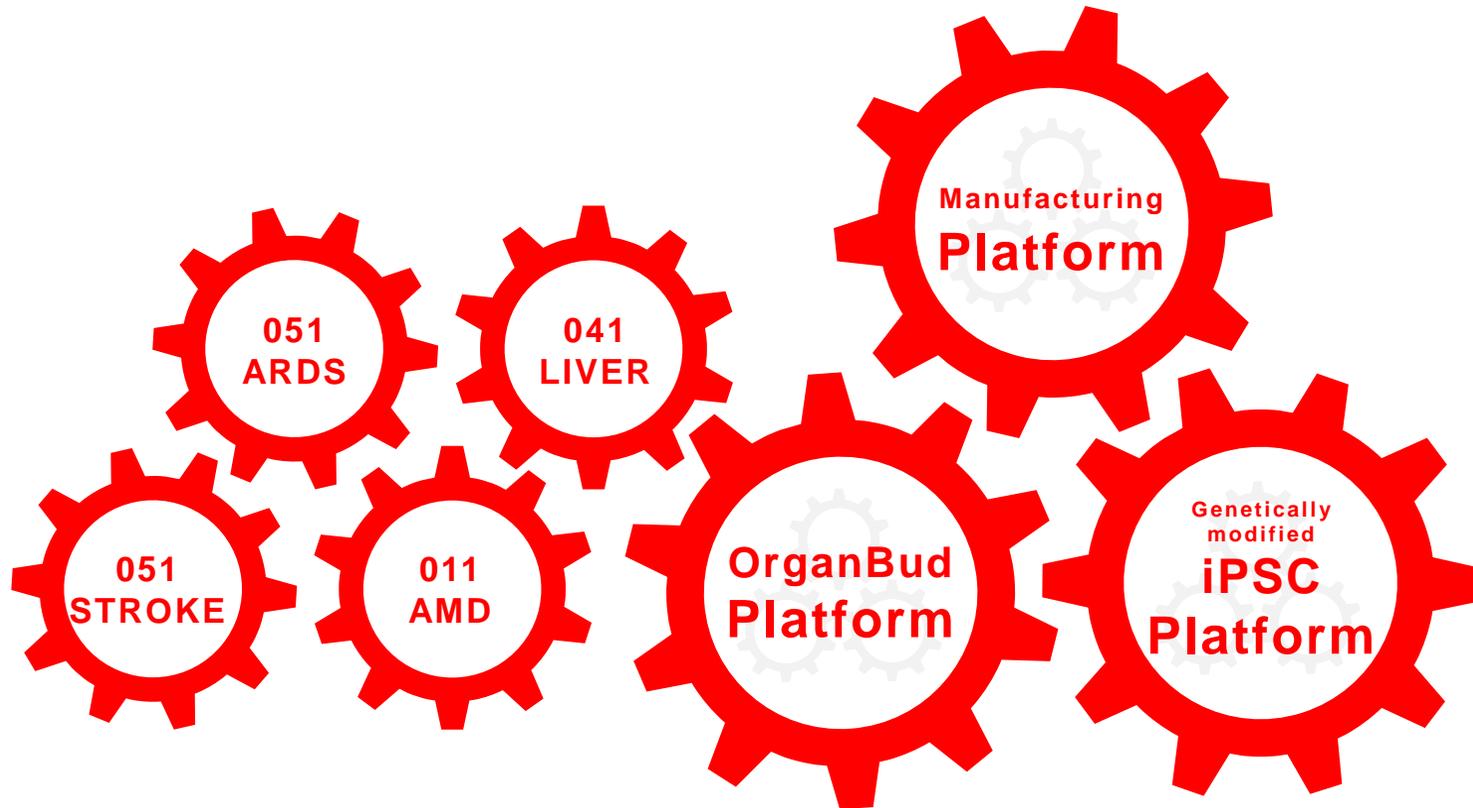
Sighregen

iPS細胞由来RPE細胞の製造
RPE細胞承認後の日本国内プロモーション







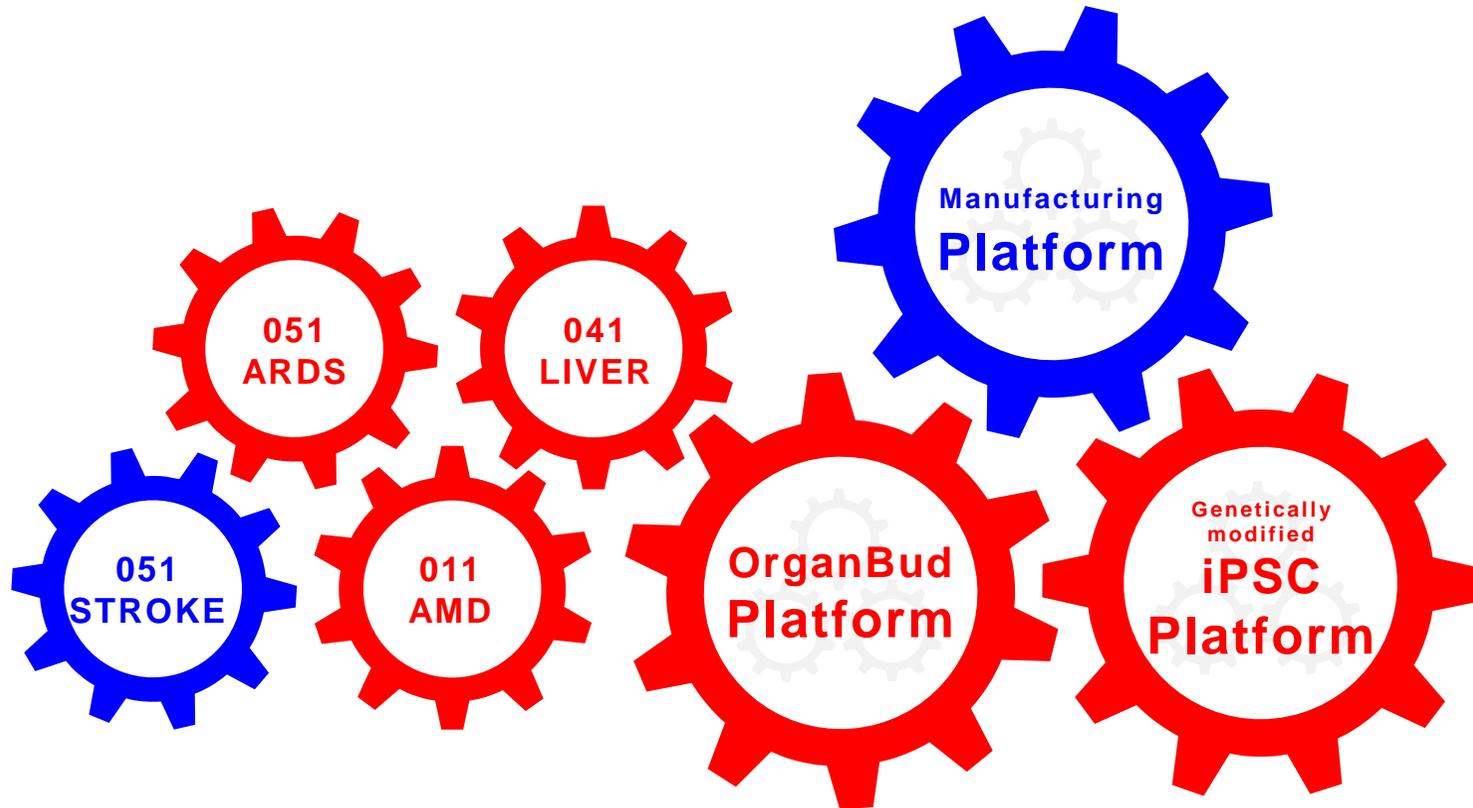


市場	事業分野	開発コード	適応症	前臨床試験	治験	申請～承認	上市	進捗状況
日本	体性幹細胞再生 医薬品分野	HLCM051	脳梗塞					治験実施中
			急性呼吸窮迫症候群					患者投与に向けて準備中
	iPSC再生 医薬品分野	HLCR011	Wet AMD (*1)			臨床研究による移植実施(*3)		
HLCL041			代謝性肝疾患					器官原基創生研究所設立

市場	事業分野	開発コード	適応症	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
米国	iPSC再生 医薬品分野	HLCR012	Dry AMD (*2)							NEIと共同研究開発
欧州		HLCR012	Dry AMD (*2)							米国第III相試験からのグローバル治験を検討中

*1) Wet AMD: 滲出性加齢黄斑変性 *2) Dry AMD: 萎縮型加齢黄斑変性

*3) 理化学研究所等による「滲出型加齢黄斑変性に対する他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞移植に関する臨床研究」



HLCM051 現状の日本の脳梗塞急性期治療について

脳梗塞

脳に酸素と栄養を供給する動脈が閉塞し、虚血症状になることで脳組織が壊死する病気。脳卒中には、脳出血と脳梗塞が含まれ、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

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、脳梗塞急性期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。

HLCM051 脳梗塞の年間発症患者数

本製品の国内対象患者数は推定6.2万人

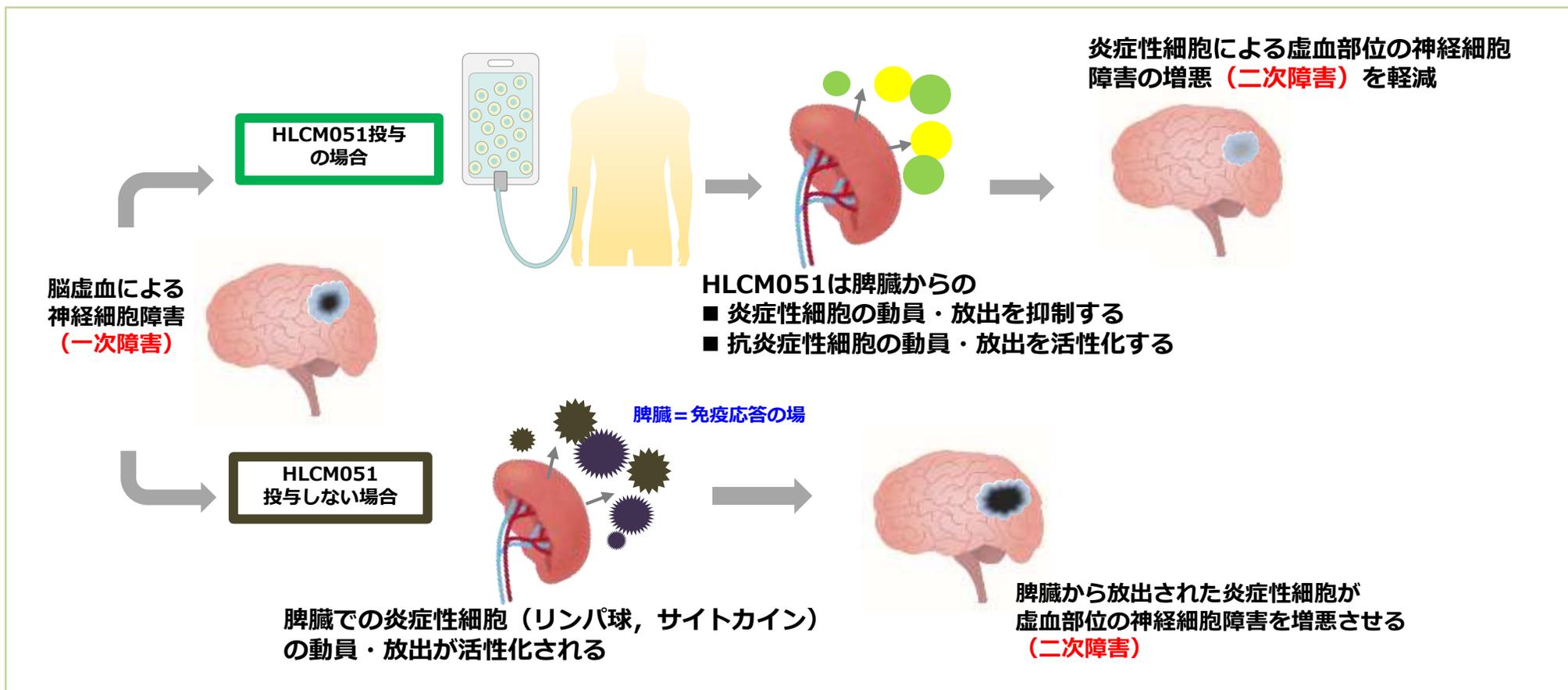
	日本 	備考
脳梗塞発症患者数（年）	23万人～33万人	脳梗塞の年間医療費 1兆707億円（2009年度） *2009年度以降統計無し
重度患者数 （主にアテローム血栓症と心原性塞栓症）	13万人	
36時間以内 到着患者数	6.2万人	

（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。

HLCM051 想定メカニズム

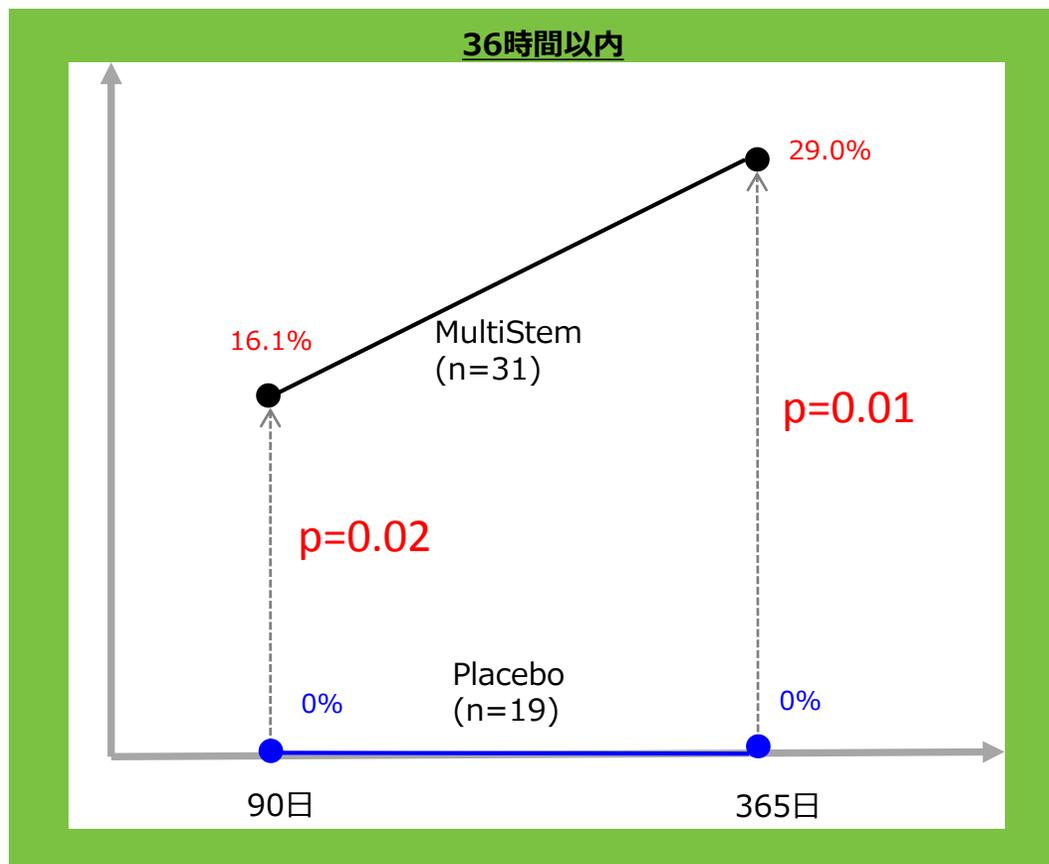
- 急性神経障害後の点滴静脈投与により、HLCM051は脾臓に分布し、炎症性免疫細胞が脳内に集積するのを防ぎ、脳梗塞急性期の炎症反応を抑える
- 増殖・栄養因子を放出して神経保護作用を促進する



HLCM051 欧米データ



第Ⅱ相試験において、Excellent Outcomeを達成した割合（プラセボ群との比較）は、MultiStemを脳梗塞発症後36時間以内に投与された患者群で90日後、365日後ともに統計学的に有意であった



欧米での開発状況

第Ⅱ相試験の結果を基に、アサシス社は欧米にて第Ⅲ相試験（MASTERS-2）を開始

- ・脳梗塞発症後18～36時間以内の患者
- ・300症例

2018年7月より被験者組み入れ開始
治験実施期間：約3年間の見込み

写真出所) 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)

HLCM051 治験進捗

「脳梗塞患者を対象としたHLCM051 (MultiStem®) の有効性及び安全性を検討する
プラセボ対照二重盲検第Ⅱ/Ⅲ相試験」 (治験名称：TREASURE試験)

2017年11月 被験者組み入れ開始
被験者組み入れには当初想定通り2年程度を要する見込み

被験者組み入れ開始
2017/11

被験者組み入れ完了は
2019年中の見込み

臨床試験
(症例数 220例)
(最終的には35施設以上での実施予定)

申請
準備

申請

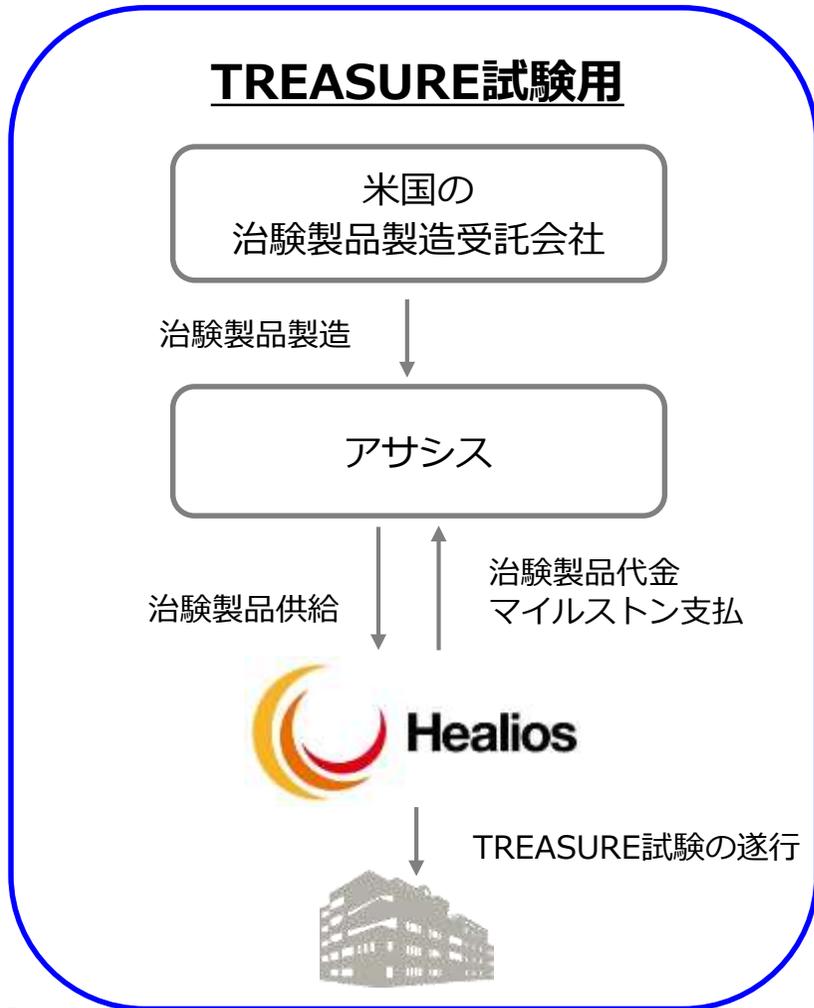
承認
市販

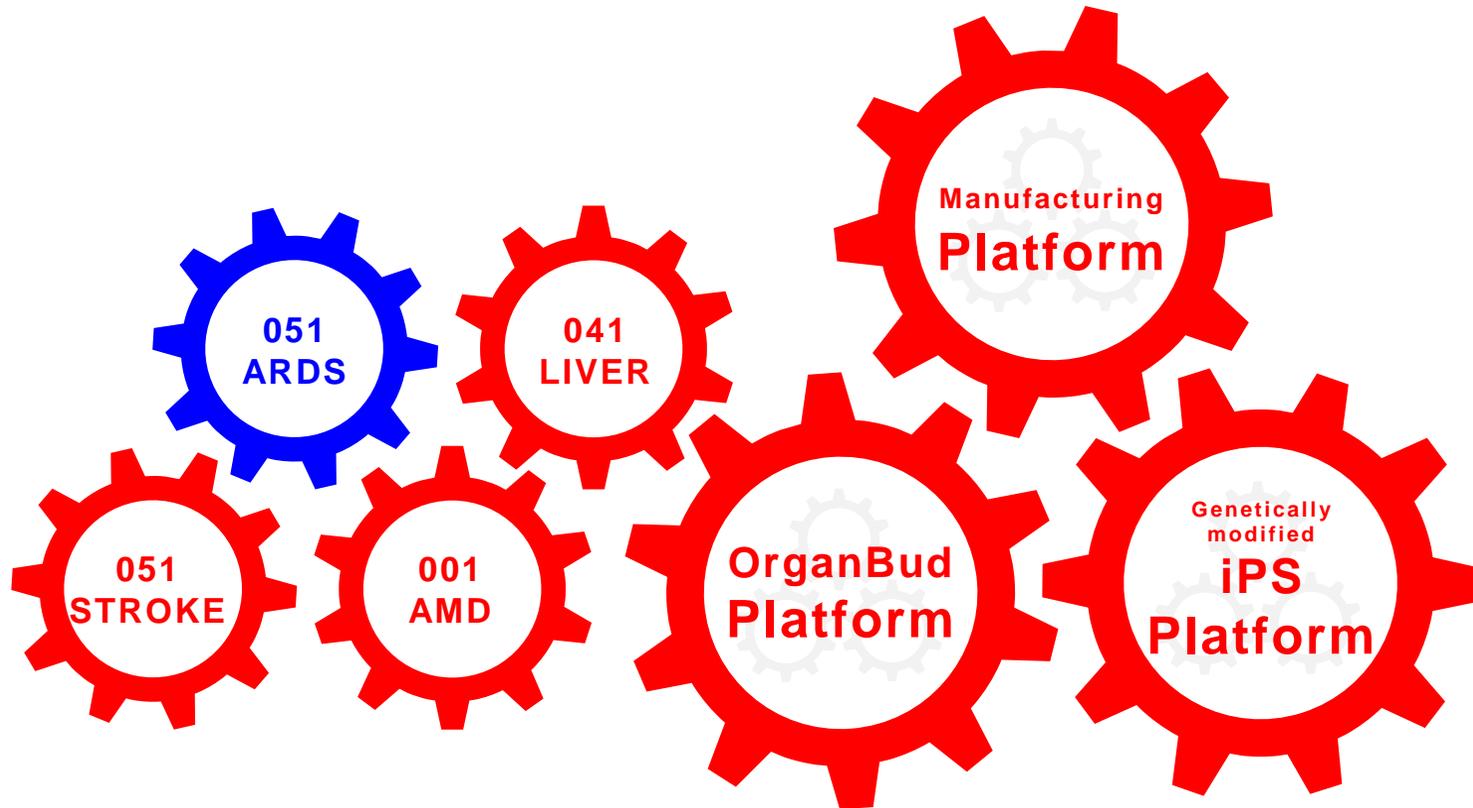
治験終了は2020年中の見込み

「先駆け審査指定制度」により
通常1年ほどの審査期間が、
6か月までに短縮される可能性

HLCM051 製造体制

承認後生産にむけて、ニコン・セル・イノベーションがアサシスと生産受託契約を締結





HLCM051 ARDS 治験デザイン

治験デザイン

- ✓ 非盲検（オープントライアル。被験者がどの治療群に割付けられたか、医師、被験者、スタッフにわかっている試験法。）
- ✓ 標準治療対照

被験者 : 肺炎を原因疾患とするARDS患者

組入症例数 : 30

治験実施期間 : 約2年間を想定

主要評価項目 : 投与後28日間のうち人口呼吸器を装着しなかった日数

開発スケジュール

2018年11月より、治験を実施する各医療機関での治験審査委員会の審査等の準備を開始。

➔ **早ければ2019年上半期より患者投与が開始される見込み**

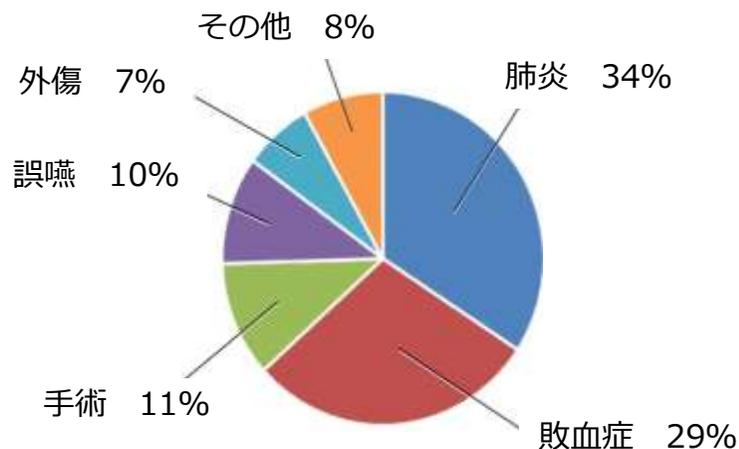
事業分野	開発コード	適応症	市場	前臨床試験	治験	申請～承認	上市	進捗状況
体性幹細胞再生医薬品分野	HLCM051	急性呼吸窮迫症候群	日本					患者投与開始にむけて準備中

HLCM051 ARDS 年間発症数

疫学データ	発症率	推定される 国内ARDS患者数
50カ国のICU利用を調べた分析結果 <small>出典：JAMA.2016; 315(8): 788-800</small>	ICU 1床当たり0.42症 ICU入室の10.4% 機械的人工呼吸を要する患者の23.4%	11,937人
千葉県における急性肺障害(ALI)/ 急性呼吸窮迫症候群(ARDS)に関する疫学調査 <small>出典：日本救急医学会雑誌2007; 18(6): 219-228</small>	6.1/10万人	7,320人

* 日本のARDS患者数は、疫学データの発症率と人口統計の日本総人口を基に当社推定

ARDSの原因疾患



**ARDSの原因疾患のうち、
肺炎がおよそ全体の1/3**

出典：Respiratory Investigation; 55(4): 257-263

HLCM051 ARDS 急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)とは

ARDS

急性呼吸窮迫症候群 (ARDS : Acute Respiratory Distress Syndrome) とは、様々な重症患者に突然起こる呼吸不全の総称である。主な原因は、重症肺炎・敗血症・大量輸血・外傷等である。

ARDSを起こした肺では、基礎疾患や外傷などに伴い、炎症性細胞が活性化され、この細胞が肺を攻撃する。その結果、重度の呼吸不全を引き起こす。

一般的には、原因となる疾患や外傷が発生してから24～48時間以内に発生すると言われている。

また、発症後の死亡率は全体の30～58%(*1)とも言われる。

(*1) ARDS診断ガイドライン2016



(出所) Athersys社提供資料

現在の治療法

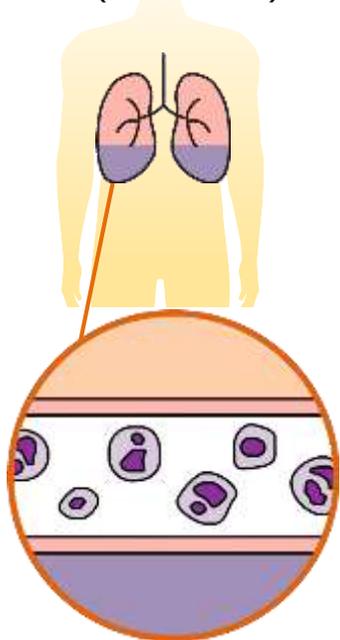
現時点において、ARDSの生命予後を直接改善できる薬物療法はなく、人工呼吸管理による呼吸不全の対処療法しかない。ただし、人工呼吸器の使用が長期化すると、患者の予後が悪くなることが知られている。

治療が長期化する事の多い、極めて予後不良の疾患であり、症状や生命予後を改善できる新規の治療法が望まれている。

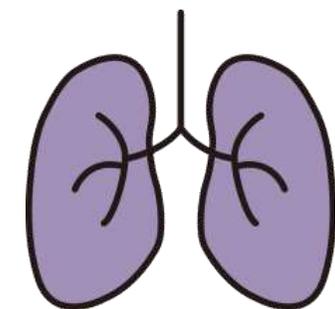
HLCM051 ARDS 治療法の想定メカニズム

- ARDS発症後の点滴静脈投与により、HLCM051が肺に集積し、肺における過剰炎症を抑制する。また、損傷を受けた組織を保護し、修復を促進する。

- ・基礎疾患(肺炎など)
- ・外傷(交通事故等)



組織がダメージを受けると炎症性細胞が大量に放出される



炎症性細胞が肺を攻撃する。その結果、低酸素状態になり重度の呼吸不全におちいる。

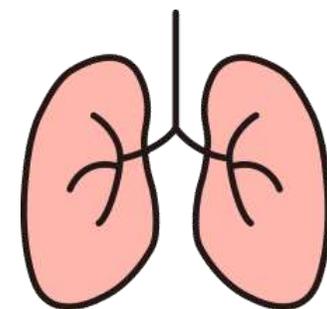


HLCM051投与



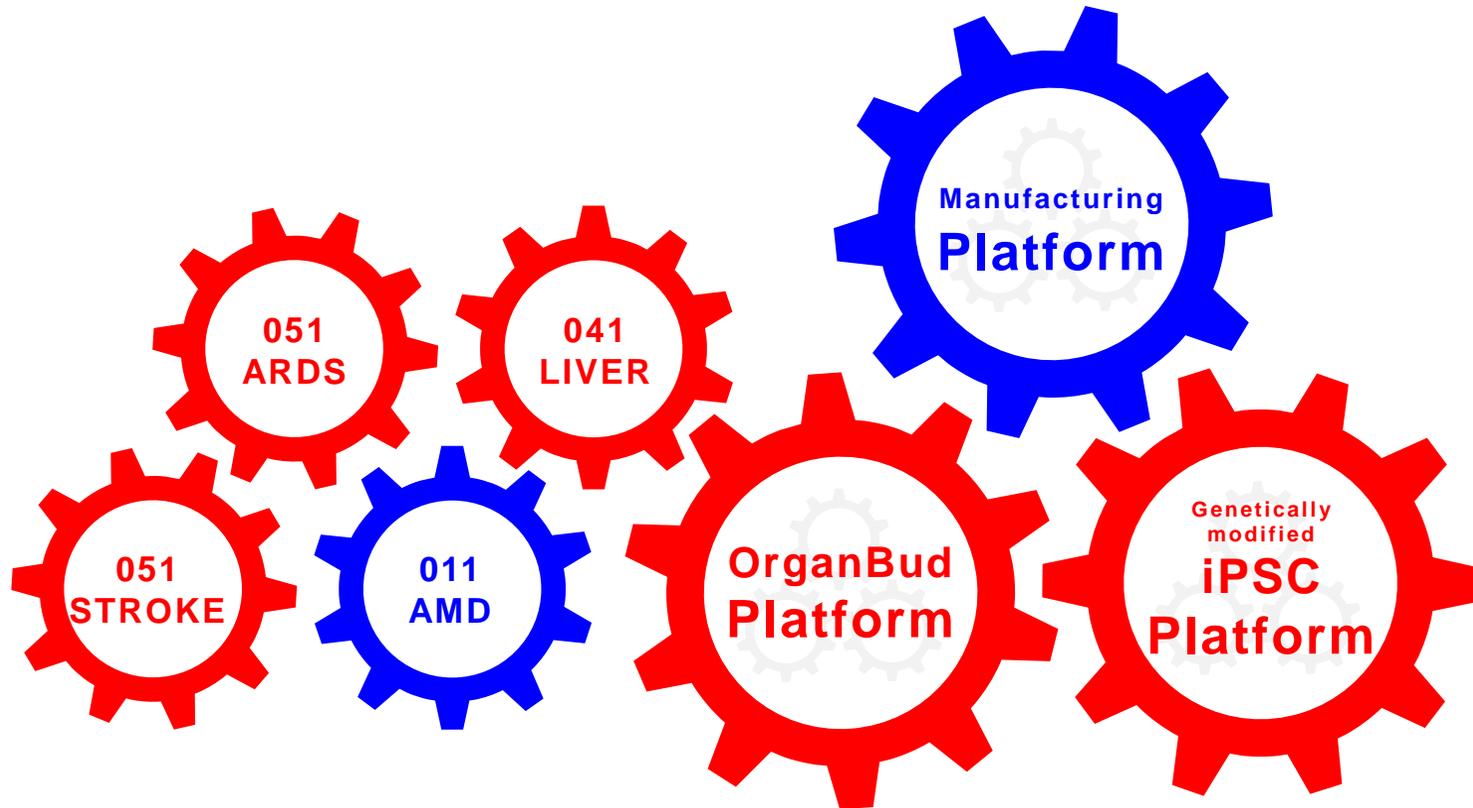
静脈投与により、HLCM051が肺に集積

- ・肺における過剰炎症を抑制
- ・組織の保護、修復の促進



肺機能が改善

- ・人工呼吸器の早期脱却、死亡率の低下が期待できる



加齢黄斑変性を発症すると網膜色素上皮（RPE）細胞が変性し機能が損なわれる

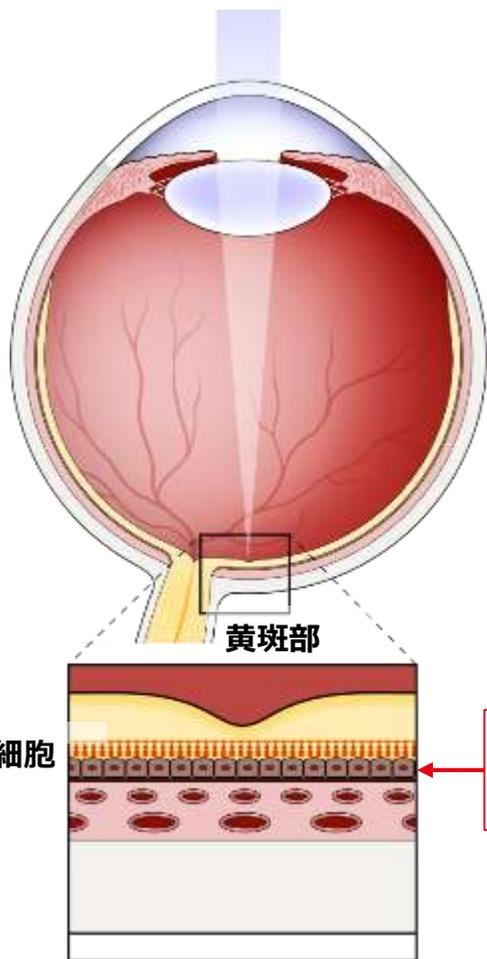
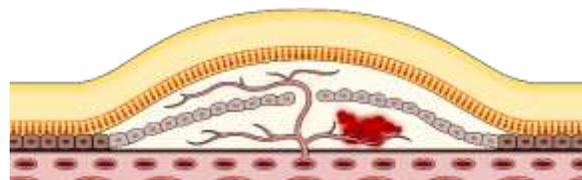
進行した萎縮型加齢黄斑変性（Dry AMD）

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

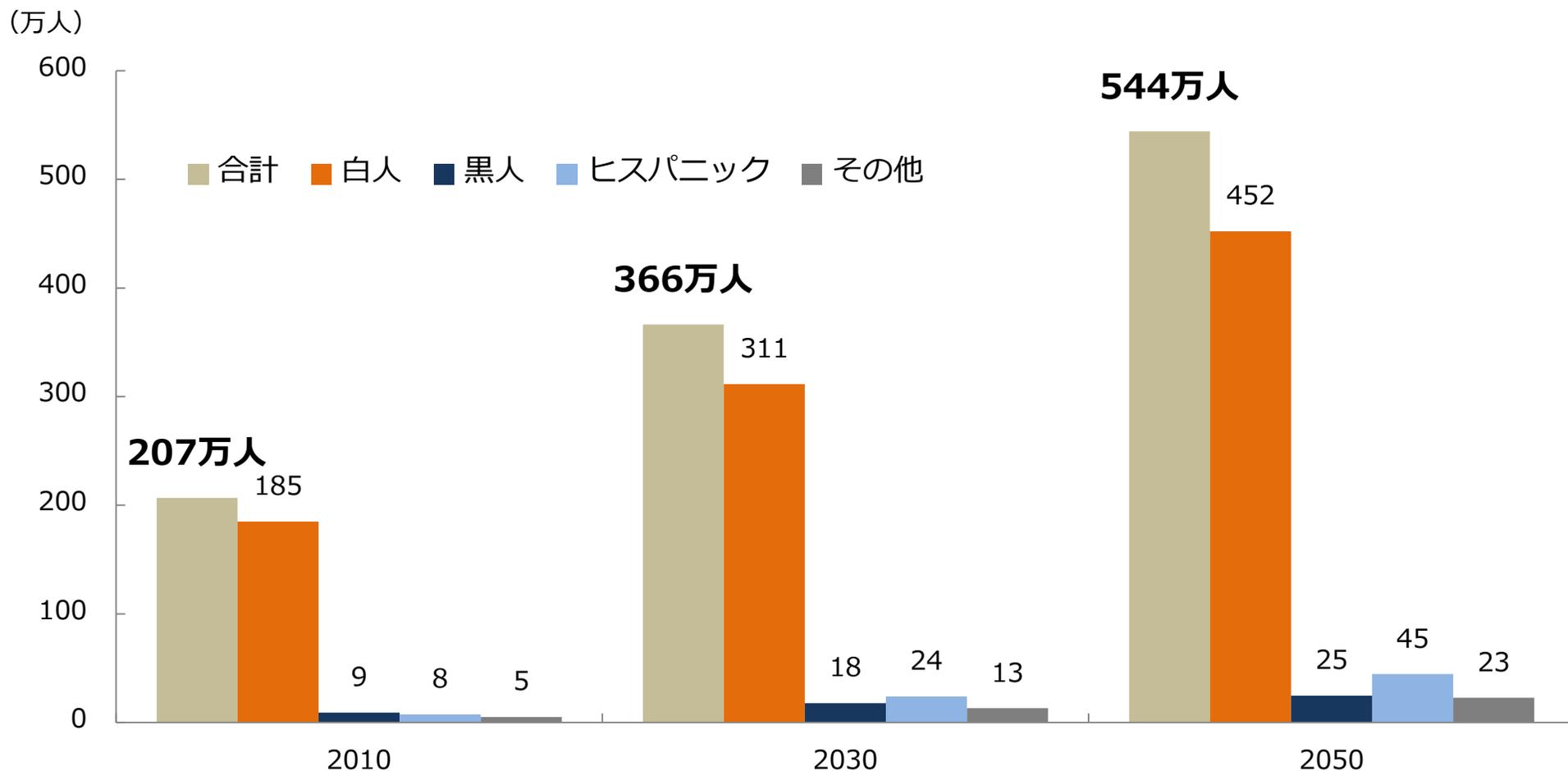


網膜色素上皮
(RPE) 細胞

正常黄斑部

HLCR011 AMD 米国における重症化したAMDの将来患者数推計

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)

HLCR011 AMD 罹患者数

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出した（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出した（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

HLCR011 AMD 抗VEGF薬の市場規模

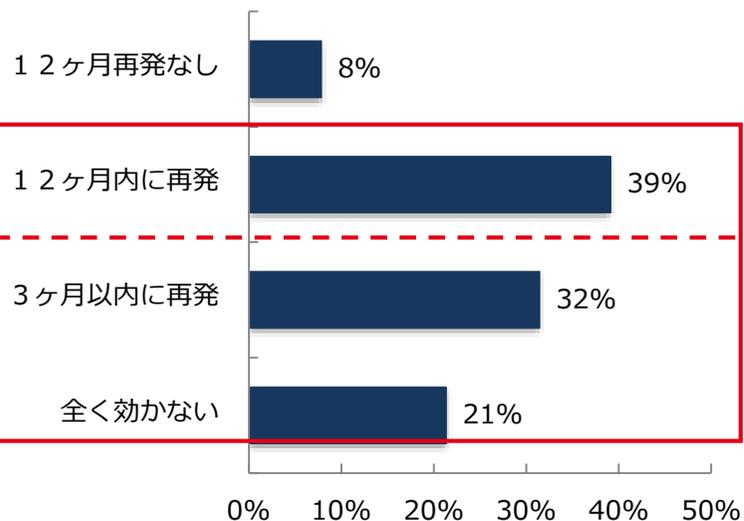
抗VEGF薬の売上は毎年増加している。DryAMDは治療薬不在

適応疾患	治療薬/ 効能	年度	地域別売上			合計
			米国 	日本 	欧州その他	
WetAMD 他3疾患	抗VEGF薬/ 新生血管の 抑制	2015	4,662億円	600億円	3,221億円	8,483億円
		2016	5,202億円	638億円	3,440億円	9,280億円
		2017	5,730億円	708億円	3,901億円	10,339億円
DryAMD	← 治療薬なし →					

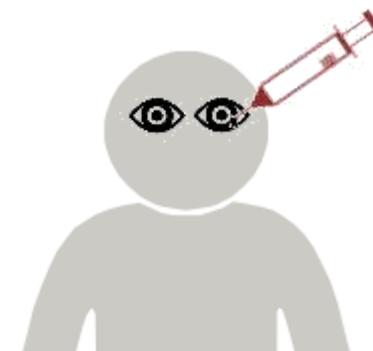
(出所) 市場規模は製薬会社各社 (Roche Diagnostic、Novartis、Regeneron、Bayer HealthCare、参天製薬) の公表資料より当社作成し適応拡大分を含む。
為替平均レートは、2015年度1 \$ = 121円、2016年度1 \$ = 110円、2017年度1 \$ = 112円で換算。

HLCR011AMD WetAMDに対する現在の治療法の課題

抗VEGF薬投与後の再発頻度



92%の患者が
1年以内に再発

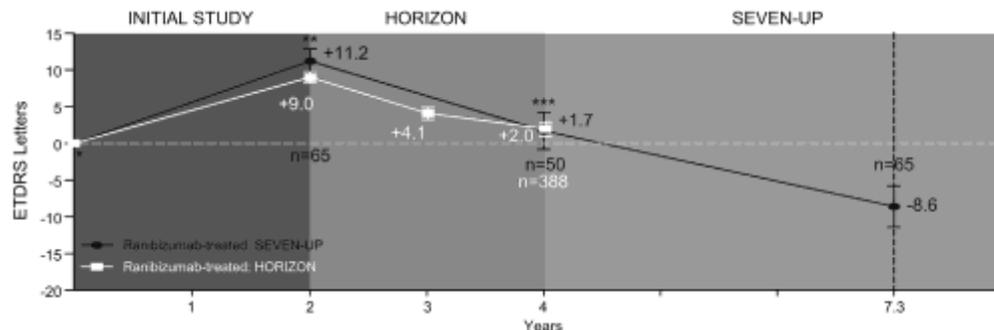


(出所) 第13回 日本再生医療学会 2014年3月19日(木) 12:00~12:50
iPS細胞の臨床応用に向けてのアプローチ 理化学研究所 万代 道子

抗VEGF薬長期投与による視力変化

ANCHOR試験、MARINA試験、HORIZON試験におけるラニズマブ投与患者の7年間の転帰 多施設共同コホート研究 (SEVEN-UP)

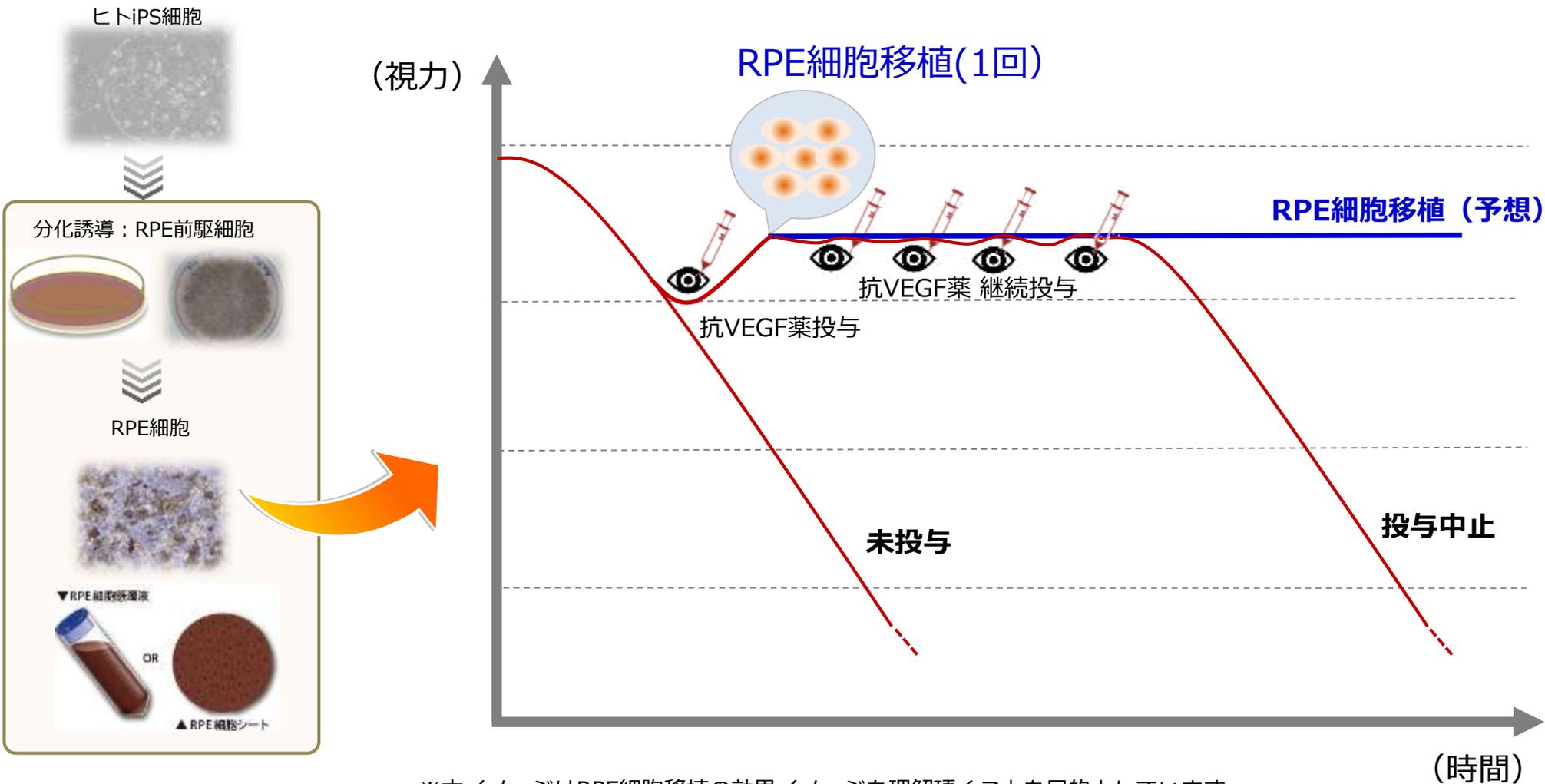
抗VEGF薬の長期投与においても
視力低下のリスク



Rofagha S, et al. Ophthalmology 2013; 120: 2292-2299

HLCR011 AMD iPS細胞由来RPE細胞製品投与による視力推移のイメージ

早期治療を行うことで、より高い視力を維持できる可能性



※本イメージはRPE細胞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同じではありません。

HLCR011 AMD 薬価の手がかり～既存医療の医療費からのアプローチ

抗VEGF薬は多くの場合、継続治療が必要

年間医療費

抗VEGF薬の薬価+処置料など
約16万

×

年間平均投与回数
6回

=

年間治療費
約100万円

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

50歳発症患者の治療継続期間 = 約**30年**

×

100万円

=

約3,000万円

60歳発症患者の治療継続期間 = 約**20年**

×

100万円

=

約2,000万円

(出所)発症データ：米国立眼科研究所、平均寿命：厚生労働省、平均投与回数：Berg K, et al Acta Ophthalmologica. 2017

HLCR011 AMD 理研等による臨床研究の進捗

2014年9月 「自家iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）シート」
初のiPS細胞由来細胞の投与を実施

2017年3月 「他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞懸濁液」臨床研究1例目の実施
2017年11月 「他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞懸濁液」臨床研究5例への投与完了を発表
: 1年間の経過観察を継続中

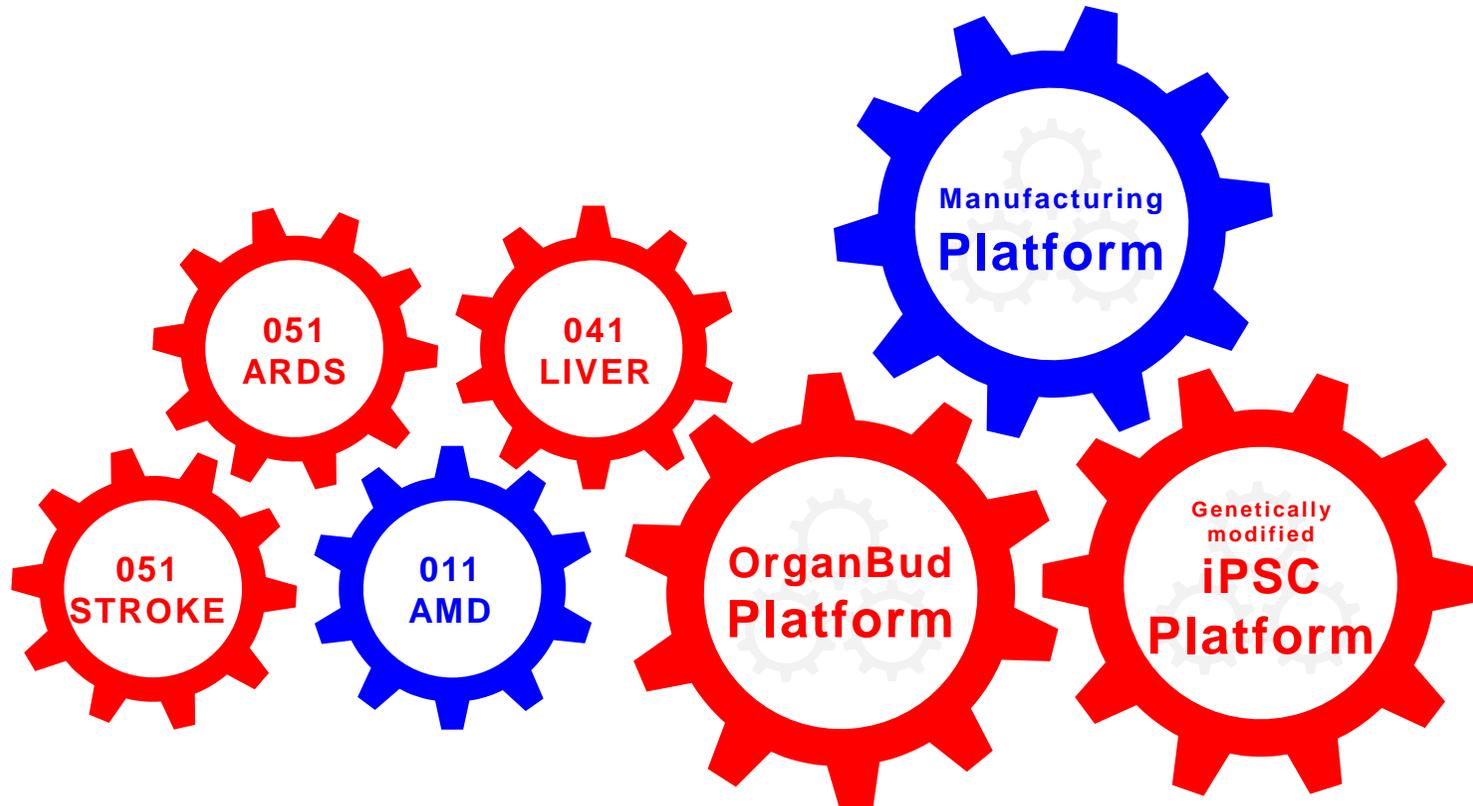
神戸市立医療センター中央市民病院は、2017年11月1日、滲出型加齢黄斑変性に対する他家iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞の懸濁液を移植する臨床研究について、当初計画していた5例への投与を全て完了したと発表した。

	シート	浮遊液
自家細胞	1症例 投与	未定
他家細胞	未定	5症例 投与完了

2018年1月 「滲出型加齢黄斑変性に対する他家iPS細胞由来網膜色素上皮細胞懸濁液移植に関する臨床研究」において、一例で網膜上膜形成と網膜浮腫が観察された旨の報告

網膜上膜の除去手術を要したが、切迫あるいは緊急性を伴うものではない旨、また理化学研究所の高橋政代プロジェクトリーダーより「今後の臨床研究への影響はない」との発表。

(出所) 理化学研究所等記者会見資料を基にヘリオス作成



HLCR011 AMD Manufacturing Planform RPE細胞製品の製造体制

iPSC
再生
医薬品

国内
RPE



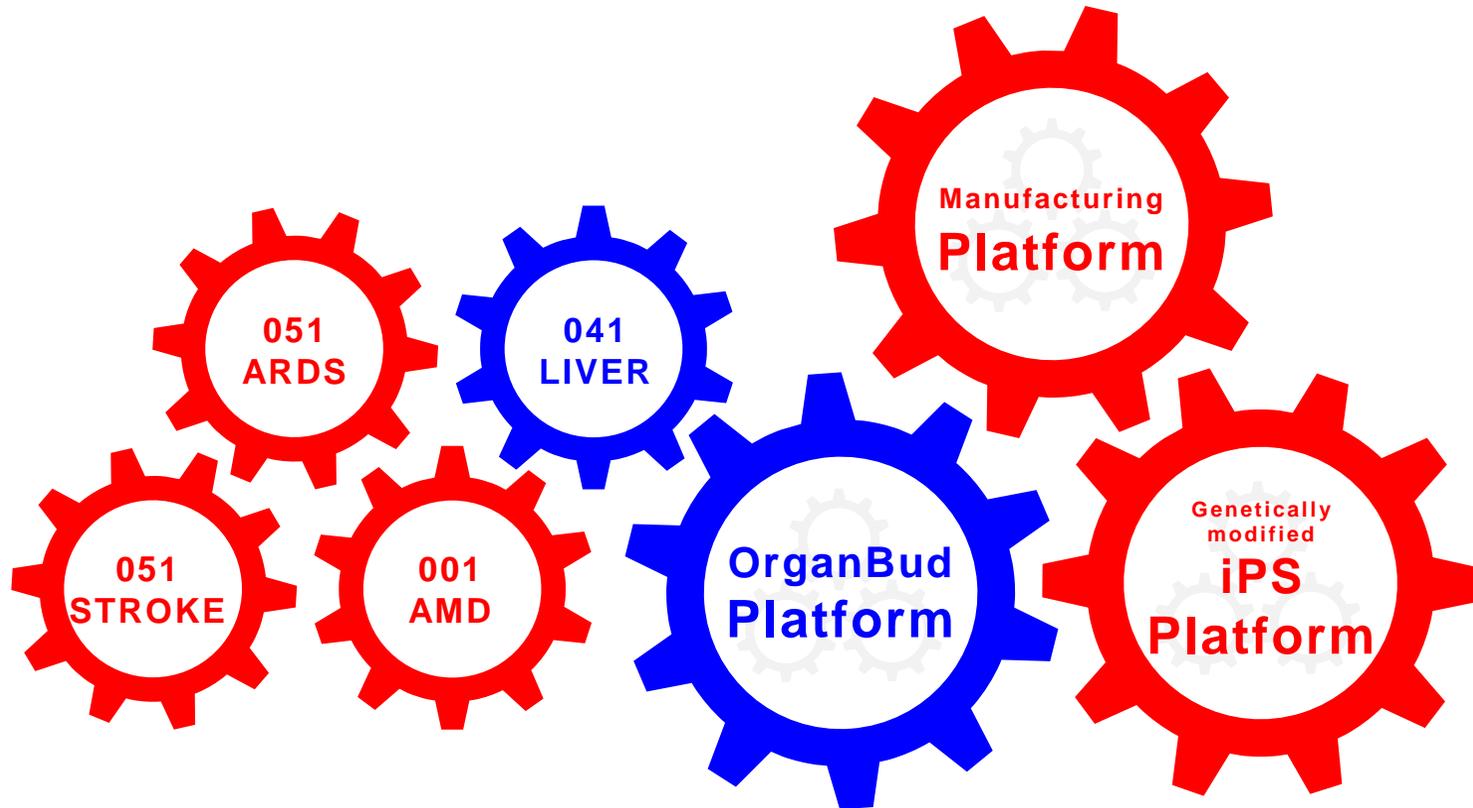
サイレジエン（大日本住友製薬との合併会社）が、大日本住友製薬の再生・細胞医薬製造プラントSMaRT内にて製造体制構築の準備を開始



2018年3月、大日本住友製薬が
大阪府吹田市に建設した
再生・細胞医薬製造プラント**SMaRT**

サイレジエンはSMaRT内の施設を賃借し
「大阪工場」を開設
iPS細胞由来RPE製品製造体制の準備を開始

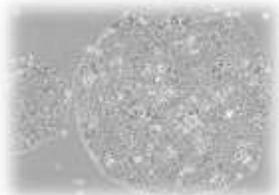




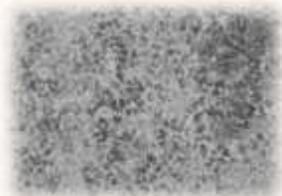
HLCL041 LIVER OrganBud Platform

3種類の細胞の共培養により臓器のもと（臓器原基）を創出

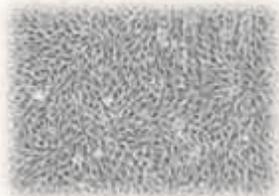
ヒトiPS細胞



肝臓の前駆細胞



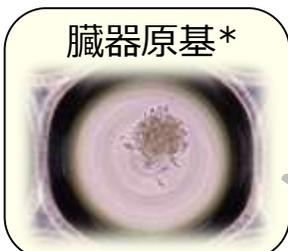
血管内皮細胞



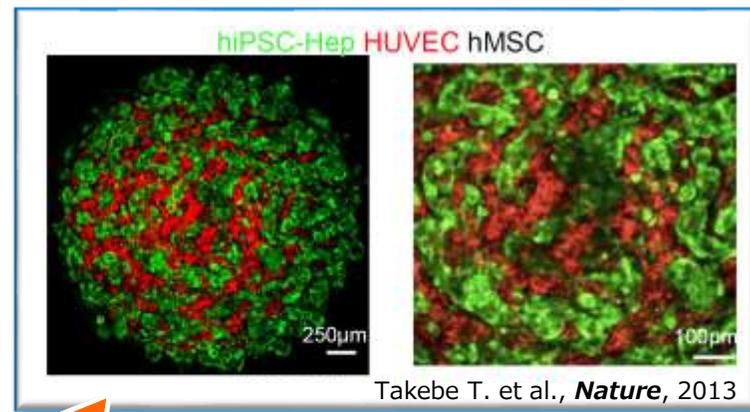
間葉系幹細胞



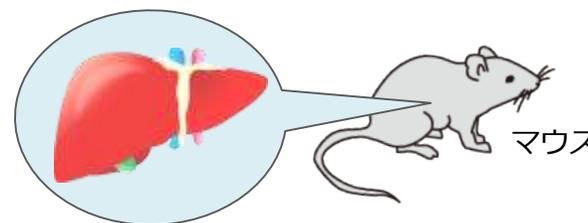
臓器原基*



臓器原基=臓器のもと



細胞移植



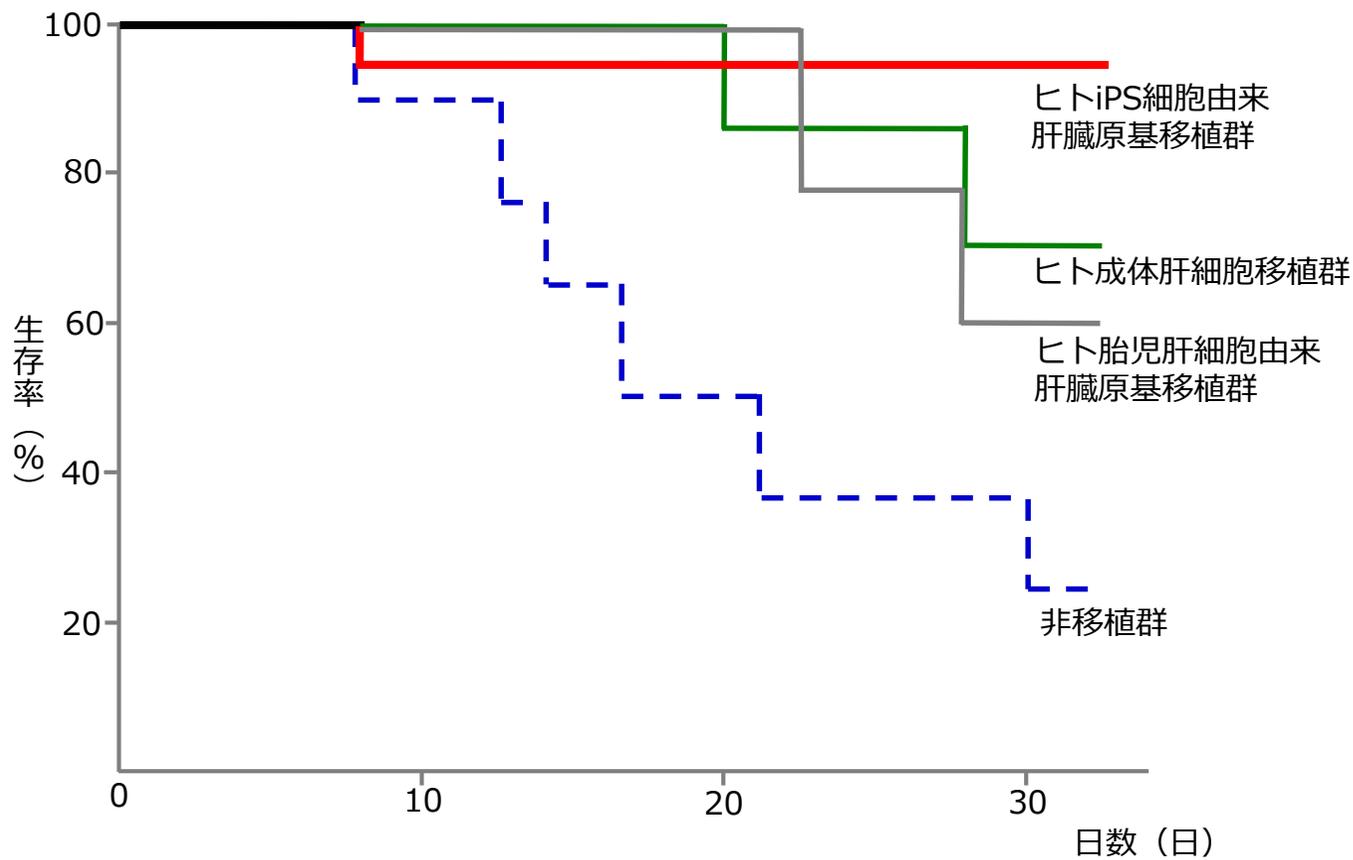
血管を持つヒトの
肝臓に成長

Takebe T. et al., *Nature Protocols*, 2014

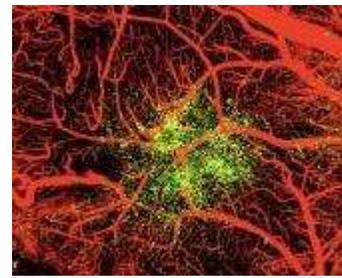
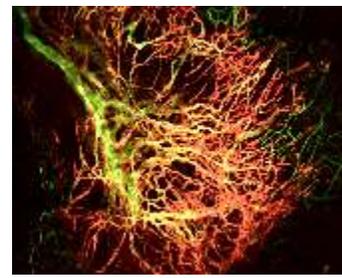
HLCL041 LIVER OrganBud Platform 肝不全モデルマウスにおける生存率

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年度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

HLCL041 LIVER OrganBud Platform 市場性の拡大（肝臓移植の代替治療）

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」

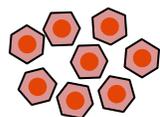
肝臓病の進み方



HLCL041 LIVER OrganBud Platform

肝臓のみならず様々な臓器への応用の可能性

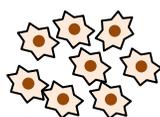
様々な臓器の細胞



血管内皮細胞



間葉系幹細胞

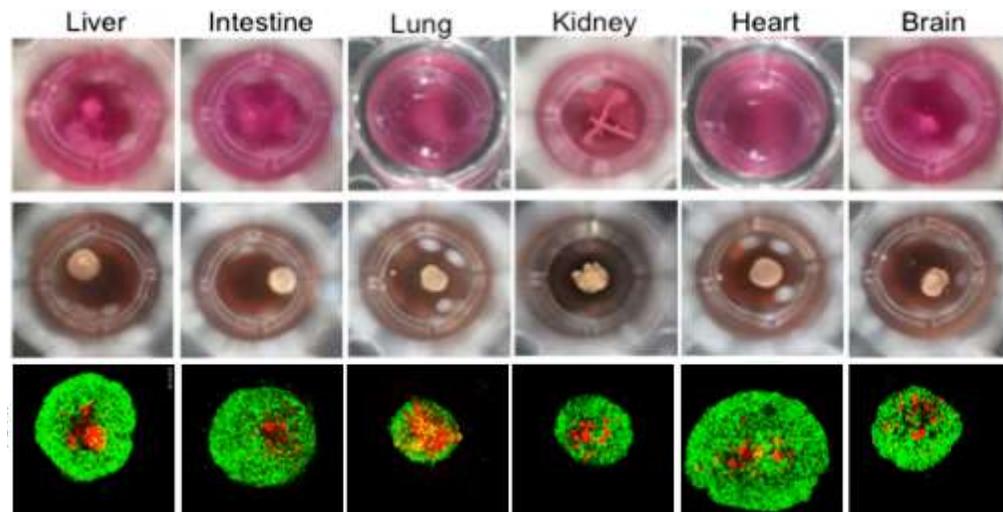


様々な臓器由来の細胞と血管内皮細胞
及び間葉系幹細胞を用いて、
血管化された3D組織の構築を達成



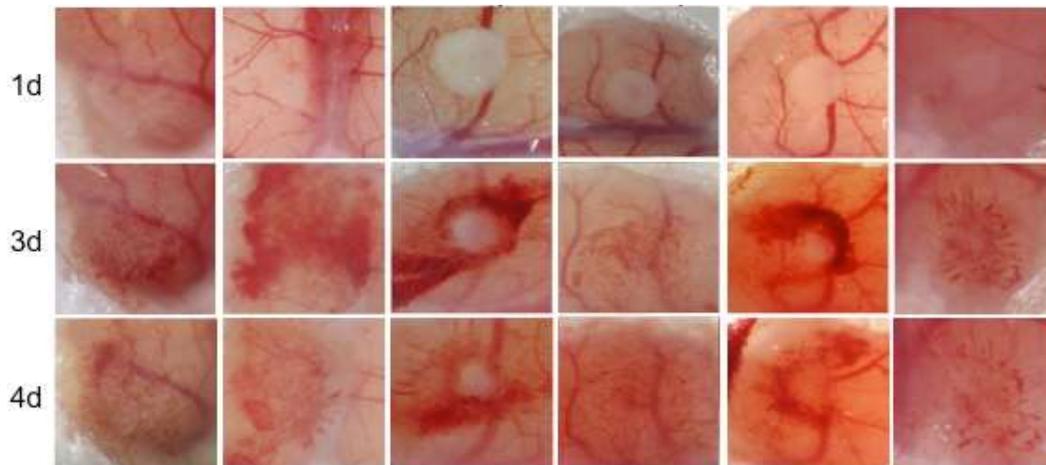
マウスに移植することで
生体内での血管化を確認

iPS細胞から各臓器の前駆細胞を
誘導することで様々な臓器への
展開の可能性が広がる



それぞれマウスへ移植

緑：各臓器の細胞
赤：血管内皮細胞
黒：間葉系幹細胞



Modified from Takebe T. et al., *Cell Stem Cell*, 2015

Copyright © HEALIOS K.K. All rights reserved.

決算概況

(単位：百万円)

	2017年12月期 第3四半期	2018年12月期第3四半期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上高	27	—	▲27	
営業利益	▲1,797	▲4,033	▲2,235	研究開発費の増加 ▲2,077
経常利益	▲1,846	▲4,054	▲2,208	
当期利益	▲1,209	▲4,058	▲2,849	2017年12月期は事業譲渡益あり (▲641)

研究開発費	1,342	3,419	2,077	Athersys, Inc.とのMultiStem®に関する独占的ライセンス権拡大 +2,160
のれん償却費	33	-	▲33	
従業員数 (社員のみ)	71名	89名	18名	

(単位：百万円 / 下段：構成比)

		2017年12月期末	2018年12月期第3四半期末		
				前年増減額	主な増減要因
	流動資産	19,288 (97.9%)	14,051 (80.1%)	▲5,236	現金及び預金 ▲5,533 (現金及び預金残高 13,507)
	固定資産	408 (2.1%)	3,482 (19.9%)	3,073	投資有価証券 +2,970
	資産合計	19,696 (100.0%)	17,533 (100.0%)	▲2,162	
	流動負債	1,300 (6.6%)	3,160 (18.0%)	1,859	1年内返済長期借入金 +1,000 未払金 +605
	固定負債	2,232 (11.3%)	1,787 (10.2%)	▲444	長期借入金 ▲629
	負債合計	3,532 (17.9%)	4,947 (28.2%)	1,415	
	純資産合計	16,163 (82.1%)	12,585 (71.8%)	▲3,577	利益剰余金 ▲4,058
	負債・純資産合計	19,696 (100.0%)	17,533 (100.0%)	▲2,162	

參考資料

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)

ミッション 「生きる」を増やす。爆発的に。

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 113億86百万円(2018年9月末時点)

従業員数 89名(2018年9月末現在)

研究所 神戸研究所、横浜研究所

関連会社 株式会社サイレジエン
(大日本住友製薬との合併会社)

Healios NA Inc.
(2018年2月設立。米国子会社)

子会社 株式会社器官原基創生研究所
(2018年6月設立。
臓器原基の研究開発に関する子会社)

経験豊かな執行体制

代表執行役社長
CEO



鍵本 忠尚

- BBGの開発に成功し、欧州等での販売を実現

執行役CMO
(Chief Medical Officer)

澤田 昌典

- 医師・医学博士・MBA
- 阪大招聘准教授兼務

執行役
研究・生産領域

田村 康一

- アステラス米国研究所長
- 免疫抑制研究に精通

執行役
開発領域

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

執行役
管理領域

石川 兼

- 組織力強化に尽力
- 取締役兼務

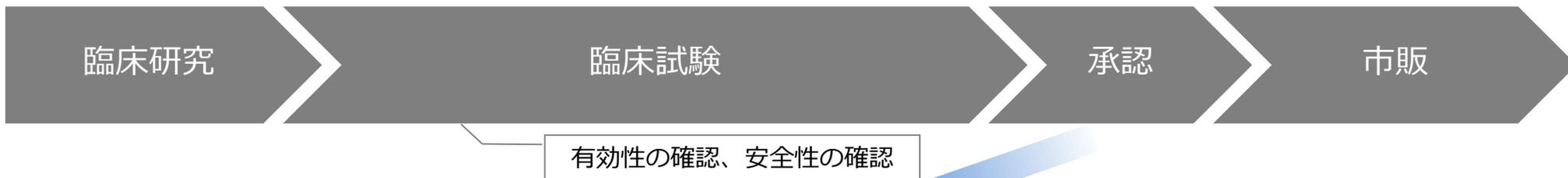
当社沿革と再生医療を取り巻く社会動向



再生医療等製品実用化への規制面での後押し

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・症例数は**大幅に減少**
- 早期承認時から**保険収載**される

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。

将来の事象等についての留意事項

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

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