



2019年11月14日

各位

会社名株式会社へリオス
代表者名代表執行役社長 CEO 鍵本忠尚
(コード番号: 4593 東証マザーズ)
問合せ先執行役 CFO リチャード・キンケイド
(TEL: 03-5777-8308)

急性呼吸窮迫症候群を対象とする体性幹細胞再生医薬品 HLCM051 希少疾病用再生医療等製品への指定見込みのお知らせ

当社は現在、日本国内にて体性幹細胞再生医薬品 HLCM051 を用いて、脳梗塞急性期及び急性呼吸窮迫症候群 (ARDS; Acute Respiratory Distress Syndrome) を対象とした治験を実施しております。

この度、厚生労働省の薬事・食品衛生審議会再生医療等製品・生物由来技術部会において、HLCM051 が、ARDS を対象として希少疾病用再生医療等製品へ指定されることが了承されましたので、お知らせいたします。今後、厚生労働省より正式に指定される予定です。

希少疾病用再生医療等製品とは、医薬品医療機器等法第77条の2に基づき、対象患者数が本邦において5万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして、薬事・食品衛生審議会の意見を聴取の上厚生労働大臣が指定するものです。

当該製品に指定された場合、開発に係る経費の負担を軽減するための助成金の交付、税制措置、助言や相談の優先や優先審査、また再審査期間の延長などの支援措置を受けることができます。

ARDS は、単一の疾患ではなく、基礎疾患や外傷等によって好中球等の免疫系が過剰に誘発され、炎症を起こすことにより肺が傷害を受け肺水腫となり、その結果、重度の呼吸不全となる症状の総称です。ARDS 診療ガイドラインによると、死亡率は30~58%と予後が非常に悪い病気です。ARDS に対する治療として、集中治療室で人工呼吸器を用いた呼吸管理を中心とする全身管理が行われます。ただ、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ます。そのため、ARDS はアンメットメディカルニーズが非常に高く、新たな治療の選択肢が望まれている疾患と言えます。年間発症数は1万人程度と考えられています。

当社は2016年1月に、米国のバイオベンチャー企業 Athersys, Inc. (以下、アサシス社といいます) と、同社の開発する幹細胞製品 MultiStem® (HLCM051) を用いた脳梗塞に対する再生医療等製品の国内での開発・販売に関する独占的なライセンス契約を締結し、体性幹細胞再生医薬品分野の取り組みを開始いたしました。さらに2018年6月に同社との提携を拡大したことにより、日本における ARDS に対する開発・販売ライセンスを取得し、開発を開始いたしました。

アサシス社が米英にて実施した ARDS を対象とした探索的臨床試験では、プラセボ対照二重盲検試験にて、MultiStem (HLCM051) 投与群で投与28日での死亡率や投与後28日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数などに改善傾向が見られました。

当社は現在、肺炎を原因疾患とする ARDS 患者に対して HLCM051 の有効性及び安全性を検討する第Ⅱ相試験（治験名称：ONE-BRIDGE 試験）を日本国内約 20 施設にて実施しております。治験は非盲検下で、標準治療を対照にて実施し、主要評価項目は投与後 28 日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数、組入れ症例数は 30 例を予定しております。

本件に関して、2019 年 12 月期業績への影響につき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