



2022年4月1日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 へ り 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 C F O リチャード・キンケイド  
 ( T E L : 0 3 - 5 9 6 2 - 9 4 4 0 )

## 東京大学医科学研究所再生医学分野とユニバーサルドナーセルを用いた 肝臓原基の製造法開発に関する共同研究契約締結のお知らせ

当社は、国立大学法人東京大学医科学研究所 再生医学分野（谷口英樹 教授）と、肝疾患に対する肝臓原基を用いた治療法の実用化に向け、ユニバーサルドナーセル\* (Universal Donor Cell: 以下、UDC と言います。) を用いた肝臓原基の製造法確立を目的とした共同研究契約を締結しましたので、お知らせいたします。

### 記

#### 1. 本契約締結の経緯と概要

当社は、肝疾患領域において、機能的なヒト臓器をつくり出す3次元臓器（開発コード：HLCL041）を用いた治療法開発に向けた研究を進めております。肝臓原基は、肝細胞に分化する前の肝前駆細胞を、細胞同士をつなぐ働きを持つ間葉系細胞と、血管をつくりだす血管内皮細胞に混合して培養することで形成されますが、当社は、これらの構成細胞及び形成された肝臓原基の機能評価や品質規格に関するデータ取得の他、大量培養法等の研究を進めてきました。

また、遺伝子編集技術を用いて、HLA型に関わりなく免疫拒絶のリスクを低減する次世代iPS細胞であるUDCを用いた新たな治療法の研究を進めており、[2020年10月20日にお知らせ](#)しました通り、ヘリオス独自の臨床グレードのUDC株（臨床株）を完成させ、様々な分野で未だ治療法のない疾患に対する新たな治療法の研究を行っております。

当社は、これまでの研究により蓄積された知見を活かしつつ、本共同研究を通じて、新たにUDCを用いた肝臓原基の製造法を確立するとともに、治験薬製造や商用化を見越した肝臓原基の大量製造法の開発を進めてまいります。当社は、臓器移植の代替治療としての新たな治療概念を提唱できるプラットフォーム技術として、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）の展開を目指してまいります。

#### 2. 本契約の相手先の概要

東京大学医科学研究所

注) 当該機関の所在地、代表者の役職・氏名、資本金、設立年月日、当事会社間の関係、大株主及び持株比率、最近3年間の経営成績及び財政状態は、相手先の意向により非開示としております。

参考：本共同研究の主たる実施先の概要

①	名称	東京大学医科学研究所 再生医学分野
②	所在地	東京都港区白金台 4-6-1
③	担当教授	分野長 谷口 英樹 教授
④	研究内容	ヒト多能性幹細胞 (iPS 細胞) 等からヒト臓器を創出するためのオルガノイド技術の開発

### 3. 本契約の日程

決議日 2022年3月23日  
契約締結日 2022年4月1日  
研究開始日 2022年4月1日

### 4. 今後の見通し

本契約締結による今期の当社連結業績への影響は軽微です。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。

#### \* UDC

免疫拒絶反応を抑えた他家 iPS 細胞です。通常、移植細胞は患者との HLA 型を一致させない場合には、免疫拒絶反応を起こします。そのため、移植時には免疫抑制剤の投与が必要となりますが、患者の負担も大きくなります。免疫抑制剤の投与を回避するためには、自らの細胞から作製する自家 iPS 細胞の使用が望ましいのですが、この作製には多くの時間と多額の費用が必要となります。

UDC は、遺伝子編集技術を用い、免疫拒絶反応の抑制を可能にする iPS 細胞です。当社の UDC は、他家 iPS 細胞から拒絶反応を引き起こす HLA 遺伝子を除去し、その細胞に免疫抑制関連遺伝子、および安全装置としての自殺遺伝子を導入した、安全な細胞医薬品の原材料となる細胞です。iPS 細胞本来の特長である無限の自己複製能力や、様々な細胞に分化する多能性を維持しながら、免疫拒絶を抑え安全性を高めた再生医療等製品創出のための次世代技術プラットフォームです。

#### ■東京大学医科学研究所 再生医学分野について

「再生医学 (Regenerative Medicine)」は、急速に解明の進みつつある発生生物学や幹細胞生物学の新知見を、臨床医学へ応用することを目指す挑戦的な学問領域です。現在、末期臓器不全症に対して臓器移植が有効な治療法として実施されていますが、年々、増大する移植ニーズと比較してドナー臓器の供給量は絶対的に不足しており、再生医療への期待が世界的に高まっています。当研究室では、ヒト多能性幹細胞 (iPS細胞) 等からヒト臓器を創出するためのオルガノイド培養技術や移植技術を開発し、臓器移植の代替となる新たな治療法を開発する研究を行っています。(詳細は<https://stemcell-imsut.org/laboratory/#lab01>をご覧ください)

#### ■株式会社ヘリオスについて

再生医療は、世界中の難治性疾患の罹患者に対する新たな治療法として期待されている分野であり、製品開発・実用化へ向けた取り組みが広がり、近い将来大きな市場となることが見込まれています。ヘリオスは、iPS細胞 (人工多能性幹細胞) 等を用いた再生医薬品開発のフロンランナーとして、実用化の可能性のあるパイプラインを複数保有するバイオテクノロジー企業です。2011年に設立、2015年に株式上場 (東証マザーズ:4593) し、再生医薬品の実用化を目指して研究開発を進めています。

独自の遺伝子編集技術を用いて免疫拒絶のリスクを低減する次世代iPS細胞、ユニバーサルドナーセル (UDC: Universal Donor Cell) を作製し、がん免疫領域、眼科領域、肝疾患等において、iPS細胞技術を用いた新たな治療薬の創出のための取り組みを進めています。iPS細胞由来の再生医療等製品としての第一候補であるHLCN061は、固形がんに対する殺傷能力を遺伝子編集により強化した次世代のNK細胞治療薬です。また、現在、体性幹細胞再生医薬品を用いて日本国内における脳梗塞急性期および急性呼吸窮迫症候群に関する治験を実施しています。(詳細は<https://www.healios.co.jp/>をご覧ください)

以上