



2022年4月4日

各位

会社名 株式会社ヘリオス
代表者名 代表執行役社長 CEO 鍵本 忠尚
(コード番号: 4593 東証グロース)
問合せ先 執行役 CFO リチャード・キンケイド
(TEL: 03-5962-9440)

体性幹細胞再生医薬品 HLCM051 を用いた ARDS 治験に関する 承認申請状況について

当社は、日本国内において体性幹細胞再生医薬品 HLCM051^{※1}（以下、本製品）を用いて、脳梗塞急性期及び急性呼吸窮迫症候群（ARDS）^{※2}を対象とした治験を実施しております。ARDS に対する治療法の開発においては、肺炎を原因とした ARDS 患者を対象とした、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）を実施しており、2021年8月と11月に、本製品投与後90日と180日の評価項目のデータの一部を発表し良好な結果が示されました。また本製品は、2019年11月に、厚生労働大臣より ARDS を対象とした希少疾病用再生医療等製品として指定されています。

これらを経て当社は、3月末に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA と言います。）と承認申請に向けての指導及び助言を受けるための再生医療等製品申請前相談を実施いたしました。その中で、本製品の有効性及び安全性に関する一定の合意が得られたものの、PMDA より今後の ARDS を適応症とした承認申請にあたっては、当社が提案した申請データパッケージに加えて、データ補強が必要との助言がありました。当社は米国において実施中の MACoVIA 試験^{※3}に係る治験データの一部の活用を含め、継続的に協議していく予定です。

当社は、現時点で 2022 年第 2 四半期中の承認申請は予定しておらず、上記事項への対応を速やかに進め、早期の申請に向け引き続き取り組んでまいります。規制当局との今後の協議や追加の対応事項の内容により、承認申請は来期以降となることも想定され、現時点では未定ですが、今後開示すべき新たな状況が判明次第、速やかにお知らせいたします。

本件に関して、2022 年 12 月期業績に対し現時点で確定した影響はありません。追加対応に要するコストに起因する影響を含め、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。

※1 HLCM051

HLCM051 は、日本国内における体性幹細胞再生医薬品の開発パイプラインです。当社は 2016 年 1 月に、米国のバイオベンチャー企業 Athersys, Inc. と、同社の開発する幹細胞製品 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、本パイプラインを導入いたしました。さらに 2018 年 6 月に同社との提携を拡大したことにより、日本における急性呼吸窮迫症候群に対する開発・販売ライセンスを取得し、開発を開始いたしました。

※2 急性呼吸窮迫症候群（ARDS）

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。

※ 3 MACoVIA 試験

米国 Athersys,Inc.が現在米国において実施している、COVID-19 由来を含む肺炎など様々な感染症を原因とする ARDS 患者を対象とした、有効性及び安全性を検証する第Ⅱ/Ⅲ相試験です。MACoVIA 試験は、単群による非盲検試験に続く、プラセボ対照二重盲検試験の第Ⅱ相、第Ⅲ相のステージから構成され、肺疾患に対する主要なクリティカルケアセンターにて最大約 400 症例を組み入れる計画で、その患者組み入れが既に開始されています。

以上