



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 を用いた脳梗塞急性期治験に関する 365 日後の経過観察データ収集完了のお知らせ

当社は、日本国内において体性幹細胞再生医薬品 HLCM051^{※1}を用いて、脳梗塞急性期及び急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) を対象とした治験を実施しております。脳梗塞急性期に対する治療法の開発においては、HLCM051 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。以下、本試験といたします。治験調整医師: 北海道大学 総長 寶金 清博 先生) を実施しております。治験登録患者の経過観察期間を経てデータ解析・評価を行う予定ですが、2022 年 3 月末に、すべての治験登録患者の投与後 365 日後データの収集が完了しましたので、お知らせいたします。

本試験は、脳梗塞発症後 18 時間から 36 時間以内に HLCM051 あるいはプラセボを投与し、投与 90 日目の機能評価で Excellent Outcome (優れた転帰)^{※2} を達成した患者の割合を主要評価項目としています。また、副次評価項目として、365 日後の機能評価での Excellent Outcome を達成した被験者の割合等、幾つかの評価項目を設定しています。

投与後 365 日後データの収集完了に伴い、今後はデータ解析の為の準備が整い次第、2022 年 5 月に、盲検化されている HLCM051 投与群/プラセボ群の割付情報を明らかにし (キーオープン)、データ解析・評価を開始する予定です。現時点では、同月に評価項目の結果 (トップラインデータ) の公表を予定しております。

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。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。

(参考) TREASURE 試験概況

治験名	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 (TREASURE 試験)
被験者	脳梗塞発症から 18~36 時間以内の患者
組み入れ	二重盲検、プラセボ対照
目標症例数	220 (HLCM051 投与 110 例、プラセボ 110 例) 無作為割付
主要評価項目	90 日後の機能評価で、Excellent Outcome (優れた転帰) を達成した被験者の割合
副次評価項目 (一部抜粋)	<ul style="list-style-type: none"> ・ 365 日後の機能評価で、Excellent Outcome を達成した被験者の割合 ・ 90 日と 365 日の mRS のシフト解析により評価した機能的転帰

※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 Excellent Outcome（優れた転帰）

脳卒中患者の機能評価に使われる主要な指標として、mRS、NIHSS、BIの3つの指標が用いられております。これら3つの指標において、「mRSが1以下、NIHSSが1以下かつBIが95以上」を満たした場合を“Excellent Outcome（優れた転帰）”と定義します。

・mRSとは：

概括障害度（modified Rankin Scale）と表現され、障害の程度を0（まったく症候がない）、1（症候があっても明らかな障害はない）、2（軽度の障害）、3（中等度の障害）、4（中等度から重度の障害）、5（重度の障害）、6（死亡）のグレードで判定する。数字が低い方が障害の度合いが低い。

・NIHSSとは：

神経症状障害度（NIH Stroke Scale）と表現され、脳梗塞の神経学的重症度を項目別に点数化して合計点で評価する。点数は0点から42点となるように設定されており、点数が高いほど重症となる。

・BIとは：

日常生活活動指標（Barthel Index）と表現され、代表的な基本的日常生活動作10項目について点数をつけ、合計得点で評価する。例えば、食事の項目では自立、自助具などの装着可、標準的時間内に食べ終えることができれば10点、部分介助（おかずを切って細かくしてもらう等）の場合は5点、全介助は0点となっている。点数は0点から100点。数字が低いほど介助の必要が高まる。

（出所：日本脳卒中学会の資料等を参考に当社作成）

以上