



2023年3月24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 グロース)
問 合 せ 先 執 行 役 CFO リチャード・キンケイド
(T E L : 0 3 - 4 5 9 0 - 8 0 0 9)

**アサシス社が米欧で実施中の脳梗塞急性期の治験に関する評価項目等を変更
－TREASURE 試験の結果を受け主要評価項目の観察期間を 365 日に延長－**

当社は、日本国内において脳梗塞急性期を対象とした体性幹細胞再生医薬品 HLCM051^{*1} 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^{*2} 治験調整医師：北海道大学総長 寶金 清博 先生）を実施し、今後のデータの取得・申請方針について、規制当局（PMDA）と協議を続けております。

米国 Athersys, Inc.（以下、アサシス社といいます。）は、米国・欧州で同じ薬剤を使用し脳梗塞急性期の治験（治験名称：MASTERS-2 試験）を実施しておりますが、2022年5月に当社が発表した [TREASURE 試験の結果](#) において、全般的に投与 365 日後の指標に良好な傾向が見られ、長期的な日常生活自立の向上が示唆されたことから、MASTERS-2 試験の主要評価項目（mRS^{*3} スコアの変化）を投与後 90 日から 365 日に変更する等、米国 FDA（Food and Drug Administration）と協議し、この度その要請が受理されました。主な変更点は以下です。

1. 主要評価項目である mRS スコアのシフト解析による評価日を投与後 90 日から 365 日に変更する。
2. 主要評価項目として設定していた投与後 90 日の mRS スコアのシフト解析は、重要な副次評価項目として解析し、他の副次評価項目も変更する。
3. これまでの治験実施計画書では、再灌流療法（tPA、MR、tPA+MR など）を用いた患者の組入れ数に上限を設定していたが、再灌流療法が現在の標準的な治療方法となっていることから、上限を撤廃する。
4. 治験の途中で独立した統計専門家に中間解析を依頼し、必要症例数の再設定を行う事が認められた。なお、当該試験は300名の患者を登録する予定であり、現時点で登録は50%以上完了している。

本件に関するアサシス社からの発表は、同社の[プレスリリース](#)（英語）をご覧ください。

今回新たに行われた FDA との合意を受け、当社は TREASURE 試験の今後の方針について、米国での治験データの活用も含め PMDA と更に相談を進めていく予定です。

現時点におきまして、本件による当社連結業績への影響はありません。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。

以 上

※ 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 TREASURE 試験

本試験は、中程度から重度の脳梗塞患者（登録時の神経症状障害度の指標である NIHSS スコアが 8 から 20）を対象とし、発症後 18 時間から 36 時間以内に HLCM051 またはプラセボの単回静脈内投与を行いました。本試験は、48 の医療機関で実施され、206 名の患者が登録されました。また、HLCM051 投与群とプラセボ投与群の患者背景に偏りはありませんでした。

なお、これまでに発表された TREASURE 試験の結果をまとめますと、以下となります。

- 主要評価項目である投与 90 日後の Excellent Outcome に有意な差は示せませんでした。
- 本剤投与後 7 日、30 日、90 日、365 日と時間が経つ程、プラセボ群と比べてより強く薬剤効果が見られました。特に 1 年後の BI、Global Recovery など示される、介護を必要とせず、自立生活が出来る患者さんの割合の増加が、統計学的有意性をもって認められました。
- 被験者の脳梗塞体積の分布でプラセボ群がやや大きい傾向があったものの、脳梗塞体積が 25 mL 未満で効果が無かったことに比べて、25、50、75 mL と、より大きくなる程、より強い薬効を認める傾向にあり、特に 50 mL 以上で統計学的有意差をもって効果が認められました。
- 64 歳以下で、本剤の効果がより強く示唆されました。

※ 3 mRS

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）のグレードで判定されます。数字が低い方が障害の度合いが低くなります。TREASURE 試験では、当該評価項目を副次評価項目として設定しています。

本件に関するお問合せ先
IR・財務経理部 IR 広報グループ
ir@healios.jp