



2023年12月27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：03-4590-8009)

ノーベルファーマ社との ARDS 治療薬の日本国内における開発販売提携に 向けた基本合意書締結のお知らせ

当社及び当社の 100%子会社である株式会社プロセルキュア（以下「プロセルキュア社」という。）並びにノーベルファーマ株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：塩村仁、<https://www.nobelpharma.co.jp/> 以下、「ノーベルファーマ社」と言います。）は、急性呼吸窮迫症候群（ARDS）*1を対象に、体性幹細胞再生医薬品 HLCM051*2の日本国内における開発販売提携に向けた基本合意書（以下、「本合意書」と言います。）を締結しましたのでお知らせします。

記

1. 本合意書の概要

本合意書は、ARDS を対象とした HLCM051 の日本国内における開発及び販売の提携を主たる内容とする契約（以下、「本契約」と言います。）に関し、当事者間の合意事項を確認するため締結するものです。今後、詳細条件等について最終合意し締結される本契約において、プロセルキュア社においては、承認取得および販売に応じたマイルストーン支払いにより、本合意書締結日現在の当社の予想売上に基づき、販売期間を通じて約 250 億円規模の対価の受領が見込まれています。また、製品は、プロセルキュア社が開発しノーベルファーマ社へ供給すること、ノーベルファーマ社は製品の販売に加え、今後合意される内容の開発・承認申請支援業務を行うこと等が合意されています。3社は、本合意書に基づき引き続き本契約締結に向けた交渉を行います。

2. 当社の ARDS 治療薬の開発とプロセルキュア社について

当社は 2018 年より、肺炎を原因疾患とした ARDS 患者を対象に、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、2021 年に、ONE-BRIDGE 試験における HLCM051 投与後 90 日及び 180 日の評価項目のデータを発表しました。有効性及び安全性について良好な結果が示されましたが、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）との協議により [2023 年 3 月 2 日にお知らせ](#)の通り、今後新たに実施する臨床試験概要について合意しております。また、臨床試験においては、大量生産が可能となる三次元培養法によって製造された治験製品を用いる予定であり、従来の二次元培養法と比べ、上市後の商用生産においても大量かつ安定的に製品を供給することが可能になることが見込まれます。このような状況のもと、臨床試験開始に向け本臨床試験を主体的に推進するため新たに子会社プロセルキュア社を設立するとともに、治験届提出にむけた準備を現在進めております。

今回の合意にあたり、当社代表執行役社長 CEO 鍵本忠尚は、次のように述べています。
「ノーベルファーマ社は、自社において 16 個もの医薬品の承認を取り、特にオーファンの領域での承認において先行されてきました。また米国での承認も取られており、経験と実績豊富な先輩の胸を借り、着実に日本市場での ARDS 治療薬の承認を取得してゆきたいと思っております」

3. 相手先の概要

| | | | | |
|------|-----------------------|---------------------------------|----------------|----------------|
| (1) | 名 称 | ノーベルファーマ株式会社 | | |
| (2) | 所 在 地 | 東京都中央区新川一丁目 17 番 24 号 NMF 茅場町ビル | | |
| (3) | 代表者の役職・氏名 | 代表取締役社長 塩村 仁 | | |
| (4) | 事 業 内 容 | 医薬品製造販売 | | |
| (5) | 資 本 金 | 1,165 万円 | | |
| (6) | 設 立 年 月 日 | 2003 年 6 月 6 日 | | |
| (7) | 発 行 済 株 式 数 | 13,525 株 | | |
| (8) | 決 算 期 | 12 月 | | |
| (9) | 従 業 員 数 | 349 名 | | |
| (10) | 大株主及び持株比率 | 久永アンドカンパニー株式会社 73.9% | | |
| (11) | 当事会社間の関係 | | | |
| | 資 本 関 係 | 該当事項はありません。 | | |
| | 人 的 関 係 | 該当事項はありません。 | | |
| | 取 引 関 係 | 該当事項はありません。 | | |
| | 関 連 当 事 者 へ の 該 当 状 況 | 該当事項はありません。 | | |
| (12) | 最近 3 年間の経営成績及び財政状態 | | | |
| | 決算期 | 2020 年 12 月期 | 2021 年 12 月期 | 2022 年 12 月期 |
| | 純 資 産 | 7,052,565 千円 | 10,094,820 千円 | 12,205,686 千円 |
| | 総 資 産 | 18,574,330 千円 | 23,008,251 千円 | 27,679,590 千円 |
| | 1 株 当 たり 純 資 産 | 521,466 円 61 銭 | 746,382 円 27 銭 | 902,453 円 72 銭 |
| | 売 上 高 | 16,929,220 千円 | 20,741,871 千円 | 21,204,348 千円 |
| | 営 業 利 益 | 3,547,810 千円 | 4,534,875 千円 | 3,799,676 千円 |
| | 経 常 利 益 | 3,466,868 千円 | 4,747,421 千円 | 3,948,702 千円 |
| | 当 期 純 利 益 | 2,511,110 千円 | 3,551,200 千円 | 2,701,097 千円 |
| | 1 株 当 たり 当 期 純 利 益 | 185,664 円 36 銭 | 262,565 円 66 銭 | 199,711 円 45 銭 |
| | 1 株 当 たり 配 当 金 | 37,630 円 | 43,640 円 | 29,300 円 |

4. 本合意の日程

決 議 日 : 2023 年 12 月 27 日
基本合意書締結日 : 2023 年 12 月 27 日
本契約締結予定日 : 2024 年 6 月末

5. 今後の見通し

本合意書締結による当社連結業績への現時点で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 急性呼吸窮迫症候群（ARDS）

ARDS は、様々な重症患者に突然起こる呼吸不全の総称で、原因疾患は多岐にわたりますが、およそ 1/3 は肺炎が原因疾患で、新型コロナウイルス感染症の重症患者においても併発することが確認されています。生命予後を直接改善できる薬物療法は無く、人工呼吸管理による呼吸不全の対処療法が実施されますが、有効な治療薬はいまだ開発されていません。発症後の死亡率は全体の 30～58%^{*a} である極めて予後不良の疾患で、生命予後を改善できる新規の治療法が望まれています。現在国内の患者数は年間 2.8 万人程度^{*b} と推定されており希少疾患に指定されていますが、米国では 21.3 万人から 26.2 万人^{*c}、欧州では 13.3 万人程度^{*d}、中国では 67 万人^{*e}、全世界では 110 万人以上が罹患していると推定されます。

（出典）

^{*a} ARDS 診断ガイドライン 2016

^{*b} 疫学データの発症率と人口統計による日本総人口を基に当社推定

^{*c} Diamond M et al. 2023 Feb 6. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2023 Jan-. PMID: 28613773 のデータと外務省アメリカ合衆国基礎データによる米国総人口を基に当社推計

^{*d} Community Research and Development Information Service (CORDIS) 2020 7-9

^{*e} song-et-al-2014-acute-respiratory-distress-syndrome-emergingresearch-in-china

*2 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® を用いた脳梗塞急性期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。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、2023 年 10 月には、その対象地域を全世界に拡大することで合意しました。

■ノーベルファーマ株式会社について

ノーベルファーマ株式会社（本社：東京都中央区、代表取締役社長：塩村仁）は、2003 年の創業以来「必要なのに顧みられない医薬品・医療機器の提供を通して、社会に貢献する」のミッションのもと、患者さんの強いニーズがあり、他社が手がけない医薬品・医療機器を速やかに世に送り出し、患者さんに届けることを目指しています。現在まで 20 年の間に、新医薬品を 16 件、適応症追加を 6 件、新医療機器を 1 品目という多くの認可を取得し、15 件の希少疾病用医薬品・医療機器指定、2 件の先駆け指定を受けています。海外展開では、米国、欧州、中国に拠点を置き、日本のみならず世界中で苦しんでおられる難病の患者さんに治療薬を提供しております。

<https://www.nobelpharma.co.jp/>

■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

開発のフロントランナーとして、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（マザーズ-現東証グロース: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（eNK[®]細胞）治療薬です。また、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（ARDS）に関する治験を実施し、申請に向け規制当局との協議を進めています。

<https://www.healios.co.jp/>

■株式会社プロセルキュアについて

急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に対する体性幹細胞再生医薬品 HLCM051 の開発を主体的に推進するため、2023年7月に当社の100%出資により設立されました。

所在地：兵庫県神戸市中央区