



2024年2月2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)

体性幹細胞再生医薬品 HL051 を用いた ARDS を対象とする 日本における治験の開始について

当社グループは、体性幹細胞再生医薬品 HL051*1 を用いて肺炎を原因疾患とした急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) *2 を対象とした治療薬の開発を進めております。本年1月18日に ARDS を対象とした治療薬の開発を推進するための当社連結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」と言います。) が、日本における臨床試験 (以下、「本試験」と言います。) の 治験計画届出書を独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) に提出 しておりました。このたび、PMDA による治験計画届出書提出後14日のレビュー期間を経て、本試験を開始する準備が整いましたので、お知らせします。

【本試験の概要】

試験法	二重盲検 無作為割付 プラセボ対照
被験者	肺炎を原因疾患とする ARDS 患者 ※新型コロナウイルス肺炎由来 ARDS 患者を含む
組入症例数	80 例 (HL051: 40 例、プラセボ: 40 例)
主要評価項目	VFD (28 日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数)
副次評価項目 (一部)	死亡率 (投与後 180 日以内)

今後、各治験実施医療機関に設置された治験審査委員会での審議等を経て、被験者の登録が開始されます。

本件に関して、2024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。

以上

<ARDS 治験薬開発販売提携の事業性について>

2023年12月27日に発表の通り、当社及びプロセルキュア社並びにノーベルファーマ株式会社 (以下、「ノーベルファーマ社」と言います。) は、日本における ARDS を対象とした HL051 の開発販売提携に向けた基本合意書を締結し、国内における開発・販売に関する詳細条件等について協議を進めております。

今後、最終合意し締結される本契約において、プロセルキュア社はノーベルファーマ社から契約一時金を受領します。その後、承認時マイルストーンを受領します。

承認後は、プロセルキュア社により製造された最終製品をノーベルファーマ社に対して

供給します

更に上記に加えて、累積売り上げに応じて、基本合意書締結日現在の当社の予想売上に基づき約 250 億円規模のセールスマイルストンの受領が見込まれています。

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にも合意しています。当社は、16 の医薬品承認を取得しているノーベルファーマ社の日本における希少疾病用医薬品の開発・販売に関する豊富な経験と能力による支援を受け、ARDS を対象とした HLCM051 の承認取得に向け準備を進めてまいります。

日本において ARDS はオーファン疾患であり患者数は年間 2.8 万人と限られておりますが、米国は約 10 倍の年間 26.2 万人、中国は 20 倍強の年間 67 万人と推定されています。当社は現在、海外における ARDS の開発権を取得し、米国を含めた形での治験の実施を検討しており、治験の内容について海外 KOL と協議を始めております。HLCM051 の実用化の加速と、特に海外市場における更なる提携を通じて当社が有する資産の積極的な収益化を進めてまいります。

*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。

ARDS を対象とした HLCM051 を用いた試験は、日本では ONE-BRIDGE 試験、米国と英国では MUST-ARDS 試験という 2 つの試験が実施され、いずれも一貫した有望な有効性データが得られています。

HLCM051 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。

*2 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

■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、実用化に向けた開発を継続しています。

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