



2024年10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)

日本における ARDS 治療薬の条件及び期限付承認申請実施の決定と 開発戦略について

当社は、「[米国 FDA との ARDS グローバル第3相試験デザインに関する合意について](#)」(2024年9月9日発表)にてお知らせの通り、米国を中心とした急性呼吸窮迫症候群 (ARDS*1) 治療薬 (MultiStem®*2) のグローバル第3相試験 (治験名称: REVIVE-ARDS 試験) の実施について FDA (Food and Drug Administration) と合意し、試験開始に向けた準備を進めております。

日本においては、既に日本国内で完了した第2相試験 (ONE-BRIDGE 試験*3) と米英で実施した第2相試験 (MUST-ARDS 試験) の良好な結果に加え、検証試験として上記 REVIVE-ARDS 試験を実施することを前提に、国内での条件及び期限付承認申請 (以下、「当該申請」と言います。) を行うことを決定しました。これにより、治験計画届を提出していた日本国内での第3相試験も必要がなくなったため、取り止める予定です。

規制当局との相談を進め、当該申請の準備を速やかに進めてまいります。米国におけるグローバル第3相試験開始に向けた準備と合わせ、詳細が決定次第公表してまいります。

今後の見通し

本計画の進捗による当社 2024 年 12 月期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症療法が実施されますが、有効な治療薬はは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^{*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 26.2 万人^{*c}、欧州では 13.3 万人^{*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 MultiStem®

MultiStem®は、健康な成人ドナー骨髄由来の多能性成体前駆細胞（MAPC）から成る当社独自の体性幹細胞再生医薬品です。MultiStem®を使用した脳梗塞急性期や急性呼吸窮迫症候群（ARDS）の治験を実施しています。MultiStem®は、強力な抗炎症作用と免疫調節作用を示すことが示されており、さまざまな病態への応用が可能です。後期臨床試験において数百人の患者で試験され、3D 培養法で一貫して製造されており、複数の適応症において数百人の患者で有効性及び安全性の両方が実証されています。ヘリオスは、脳梗塞急性期、ARDS、外傷に対し、MultiStem®をグローバルに推進してまいります。

米国において脳梗塞急性期及びARDSを対象疾患とするMultiStem®は、FDAより、重篤または生命を脅かす疾病や治療法のない疾病に対する新薬の開発に向け一定の条件を満たした医薬品に対し迅速承認を可能とする制度であるFast Track（医薬品）及びRMAT（細胞加工製品）の指定を受けています。

*3 ONE-BRIDGE 試験

日本において肺炎由来のARDS患者に対して実施したMultiStem®を用いた細胞治療の治験です。プラセボ対照非盲検試験（第2相試験）で、Cohort1（肺炎由来）投与群20名／プラセボ群10名、Cohort2（COVID-19由来）投与群5名を組み入れました。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。