



2024年1月18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 HLCM051 を用いた ARDS を対象とする 日本における治験計画届出書の提出に関するお知らせ

当社グループは、体性幹細胞再生医薬品 HLCM051*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 を対象にした治療薬の開発を進めており、[2023年3月2日にお知らせ](#)の通り、有効性及び安全性のデータ補強を目的とした日本における追加臨床試験（以下、「本試験」と言います。）を実施するための準備を進めてまいりました。

このたび、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、本試験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）に提出しましたので、お知らせします。

PMDA への治験計画届出書提出後 14 日のレビュー期間を経て、本試験を開始する予定です。

今回の治験計画届出書の提出にあたり、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。「ARDS という非常に重篤な医療ニーズに対して最終試験の開始に至ったことに、まず良かったとの思いを持っています。一日も早く承認を取得出来るよう、関係者一同着実に努力を重ねて行きたいと思っております」

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 HLCM051 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さら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（マザーズー現東証グロース: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/>