



2026年1月20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 C E O 鍵 本 忠 尚  
(コード番号：4593 東証グロース)  
問 合 せ 先 執 行 役 C F O リ チャード・キンケイド  
( T E L : 0 3 - 4 5 9 0 - 8 0 0 9 )

## ARDS 治療薬のグローバル第3相試験 (REVIVE-ARDS 試験) における 日本国内の治験計画届出書の提出に関するお知らせ

当社は、ARDS\*<sup>1</sup>(急性呼吸窮迫症候群)治療薬のグローバル第3相試験 (REVIVE-ARDS 試験\*<sup>2</sup>) 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いたします。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。

### 【REVIVE-ARDS 試験の概要】

試験法	二重盲検、無作為割付、プラセボ対照 (ARDS 診断後 48 時間以内投与)
被験者	肺炎を原因とする ARDS 患者
地域	米国、日本、アジア太平洋、欧州
組入症例数	最大 550 例 (HLCM051: 275 例、プラセボ: 275 例) (300 例及び 400 例の各段階で中間解析実施。いずれかの時点で 治験薬の有効性が統計学的有意と認められた場合、治験完了) *地域別の組入数未定
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 90 日以内)

当社は、「[ARDS 治療薬のグローバル第3相試験 \(REVIVE-ARDS 試験\) 実施に向けた対面助言完了のお知らせ](#)」(2025 年 4 月 23 日発表)でお知らせの通り、HLCM051 の日本国内での条件及び期限付承認に向けた承認後検証試験として、PMDA より、REVIVE-ARDS 試験において国内被験者の組み入れが可能である点について合意しております。REVIVE-ARDS 試験は、患者組み入れを日本国内で先行して行い、その後並行して米国を中心としたグローバルでの治験を進める計画であり、この度日本国内での治験届出書の提出を行いました。今後、REVIVE-ARDS 試験の進捗につきまして適宜公表の予定です。

当社は、「[HLCM051 \(ARDS 及び脳梗塞急性期\) に関する開発・申請方針について](#)」(2025 年 12 月 9 日発表)でお知らせの通り、当社が開発する体性幹細胞再生医薬品 HLCM051 については ARDS 治療薬の開発を優先して進めております。日本国内では、REVIVE-ARDS 試験の一部として国内での患者組み入れを開始し、並行して条件及び期限付承認の申請並びに承認取得、製品販売に向けた準備を継続して進めます。

## 今後の見通し

本件による当社 2026 年 12 月期連結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

### \*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%<sup>\*a</sup>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<sup>\*b</sup>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<sup>\*c</sup>、欧州では 13.3 万人<sup>\*d</sup>、中国では 67 万人<sup>\*e</sup>、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）

<sup>\*a</sup> ARDS 診断ガイドライン 2016

<sup>\*b</sup> 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

<sup>\*c</sup> 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

<sup>\*d</sup> Community Research and Development Information Service (CORDIS) 2020 7-9

<sup>\*e</sup> song-et-al-2014-acute-respiratory-distress-syndrome-emergingresearch-in-c

### \*2・REVIVE-ARDS 試験

米国を中心とした ARDS 治療薬 HLCM051 (invimestrocel) のグローバル第 3 相試験。2024 年 9 月に FDA (Food and Drug Administration) と協議を行い、本試験のデザインについて、当社の要望に沿ったかたちで合意しており、主要評価項目は、日本で実施した試験 (ONE-BRIDGE 試験) と同じく VFD (Ventilator Free Days : 投与後 (本試験では 28 日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数) が採用されました。本試験は、300 例及び 400 例の各段階で中間解析を行い、いずれかの時点で試験薬の有効性が統計学的有意と認められた場合に試験を完了するデザインとなっており、症例数は最大 550 例としています。また、本試験で三次元培養法によって製造された試験薬を用いる道筋についても確認しています。

### \*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 HLCM051 (invimestrocel) を用いた細胞治療の試験です。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。

## ■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患者さんにとって新たな治療法として期待されています。この分野では、製品開発・実用化への取り組みが広がり、将来的には大きな市場とす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) などを用いた

再生医薬品開発のフロンランナーとして、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（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。体性幹細胞再生医薬品分野では、健康な成人ドナー骨髄由来の体性幹細胞から成る独自の細胞製品である HLCM051 を使用した急性呼吸窮迫症候群（ARDS）や脳梗塞急性期及び外傷の治験を実施しています。HLCM051 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、様々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さんで試験され、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さんで安全性と有効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、HLCM051 をグローバルに推進してまいります。iPSC 再生医薬品分野では、免疫拒絶のリスクを低減する次世代 iPS 細胞であるユニバーサルドナーセル（UDC: Universal Donor Cell）を作製し、さらには、遺伝子編集技術により固形がんに対する殺傷能力を強化した次世代 NK 細胞（eNK®細胞）の開発を、株式会社 Akatsuki Therapeutics の主導で進めています。eNK®細胞は、動物モデルにおいて強固な抗腫瘍効果を実証しており、大量生産が可能な 3D バイオリアクターでの製造プロセスを実現しています。これらにより、がん免疫領域をはじめ、眼科領域、肝臓領域などで新規治療薬の開発に取り組んでいます。 <https://www.healios.co.jp>