



「生きる」を増やす。爆発的に



Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2024/10/2



企業概要

「生きる」を増やす。爆発的に。

“「生きる」を増やす。爆発的に。”のMissionのもと、先進国における主な死因や新たな治療薬が望まれる領域（固形癌；腫瘍領域、脳梗塞；脳神経領域、ARDS；呼吸器領域）において、率先して細胞医薬品・再生医療等製品の研究・開発・製造を進める。

会社概要

会社名	株式会社ヘリオス HEALIOS K.K.
代表者	代表執行役社長CEO 鍵本 忠尚 (かぎもと ただひさ)
創業	2011年2月24日
資本金	28億円 (2024年3月末現在)
所在地	東京都千代田区有楽町1-1-2 日比谷三井タワー12階 ワークスタイリング内
従業員数	60名(2024年3月末現在)
事業内容	細胞医薬品・再生医療等製品の研究・開発・製造
Mission	「生きる」を増やす。爆発的に。
関連会社	株式会社サイレジエン (住友ファーマとの合併会社)
子会社	<ul style="list-style-type: none">・ Healios NA, Inc. (2018年2月設立。米国子会社)・ Saisei Ventures LLC (2021年1月設立。再生医療分野のファンド運用)・ Saisei Capital Ltd.(2021年1月設立。再生医療分野のファンド運営)・ Saisei Bioventures, L.P. (2021年1月設立。再生医療分野のファンド実行)・ 株式会社プロセルキュア (2023年7月設立。ARDSの開発推進)・ 株式会社eNK Therapeutics (2023年8月設立。eNK®細胞の研究開発推進)

博士号を持つ研究者が多数在籍し、遺伝子編集からプロセス開発まで自社で実施可能

1. 探索的研究

- I. iPS細胞分化誘導法開発
- II. 分化細胞機能評価
- III. 遺伝子導入・欠損細胞作製
- IV. ゲノム編集細胞評価

2. 遺伝子組換え実験

- I. プラスミド作製
- II. ウイルスベクター作製
- III. 遺伝子導入細胞作製

3. 分析業務

- I. 各種細胞機能評価
- II. 評価系開発



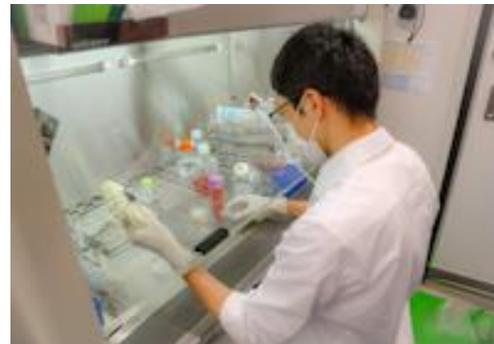
ヘリオス・神戸研究所のエリア(写真提供: 神戸都市振興サービス株)

4. 動物実験

- I. 担癌マウス作製
- II. In vivo 抗腫瘍効果評価
- III. In vivo免疫反応評価
- IV. 組織切片作成・免疫染色

5. プロセス開発研究

- I. 分化誘導最適化
- II. 大量製造方法開発
- III. 凍結培地・凍結工程開発
- IV. 培地分析



日本の医薬品開発における最適な環境

iPS細胞の発見

山中伸弥 教授（京都大学・M.D, Ph.D.）がノーベル生理学・医学賞を受賞（2012年）

迅速な薬事審査体制

- 条件及び期限付き承認制度
- 先駆け審査指定制度

細胞医薬品製造に関わる充実した環境

- 臨床グレードかつスケールアップに対応するインフラ環境

ヘリオスの強み

革新的な研究開発技術

- 独自の遺伝子編集iPS細胞を用いたプラットフォームを確立（ユニバーサルドナーセル）
- 神戸研究所：研究者（Ph.D. 取得者）多数
- 複数の研究機関とのパートナーシップやジョイントベンチャーを構築

CMCに関する豊富な専門知識 & グローバル企業との基盤的な提携

- GCTP/GMP 対応の製造施設を整備中
- eNKのための自動化された3Dバイオリクター装置の構築
- 優れた3次元臓器の製造技術
- ニコン及び住友ファーマとの長年にわたる提携関係

臨床開発の経験

- 細胞医薬品の開発では国内最大の臨床試験を含む2つの臨床試験を実施
- 流通、保管、院内調整など一気通貫の体制を構築し、細胞医薬品を取り扱う治験ノウハウを蓄積



事業戦略

収益化への三本の柱

成長のドライバーである米国市場開発を加速し、他資産は収益化を図る

医療材料	骨髄由来細胞	iPS細胞
<p>HLCM051培養上清</p> <p>Universal Donor Cell iPS細胞株など</p> <p>SIFU技術</p>	<p>ARDS</p> <p>グローバル第3相試験の準備 日本における条件期限付承認</p> <p>脳梗塞急性期</p> <p>グローバル第3相試験の検討</p> <p>外傷</p> <p>米国防総省予算で第2相試験</p>	<p>細胞置換</p> <p>RPE細胞 患者組み入れ開始</p> <p>がん免疫療法</p> <p>遺伝子編集NK細胞治療</p>
<p>培養上清： 2024年、共同研究の推進 AND medical groupと契約締結 2025年、外販開始</p> <p>SIFU技術： 日米のパートナー候補と販売協議中</p>	<p>グローバル権利の確保により事業規模拡大</p> <p><u>世界最大市場の米国における、脳梗塞、ARDSという二本の第3相試験開始へ向けて着実に進捗中</u></p> <p>共同開発契約、カーブアウト、助成金の組み合わせで進める</p>	

	開発コード	対象疾患	細胞技術	地域	創薬	前臨床	臨床			備考
							P1	P2	P3	
炎症	HLCM051	急性呼吸窮迫症候群 (ARDS)	骨髄由来間葉系幹細胞	日本	Phase 3				条件及び期限付承認申請予定 希少疾病用再生医療等製品	
			骨髄由来間葉系幹細胞	グローバル (米国)	Phase 2/3				米国でのグローバル第3相試験デザインについて FDAと合意 Fast Track及びRMAT指定 (米国) *1	
	HLCM051	脳梗塞急性期	骨髄由来間葉系幹細胞	グローバル (米国・日本)	Phase 3			米国での第3相試験 (MASTERS-2試験) と日本での第2/3相試験 (TREASURE試験) の統合データ解析を行い、グローバル第3相試験検討中 先駆け審査指定制度認定 (日本) Fast Track及びRMAT指定 (米国)		
	HLCM051	外傷	骨髄由来間葉系幹細胞	グローバル (米国)	Phase 2			米国国防総省予算とメモリアル・ハーマン基金にて治験実施中		

*1 米国FDAよりFast Track及びRMAT (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 (RMATは細胞加工製品) に対し迅速承認を可能とする制度) 指定を受けています

	開発コード	対象疾患	細胞技術	地域	創薬	前臨床	臨床			備考
							P1	P2	P3	
細胞置換	HLCR011	網膜色素上皮裂孔 加齢黄斑変性	RPE細胞*2	日本	Phase 1/2				住友ファーマとの共同開発 (2028年度上市目標) 被験者組み入れ開始	

*2 Retinal Pigment Epithelium : 網膜色素上皮細胞

がん免疫	HLCN061	胃がん、中皮腫、 肺がん、肝がん	eNK®細胞	グローバル	Phase 1/2				Pre-IND/治験前相談を開始済 IND/治験開始 (2025年度目標)
	-	固形がん	CAR-eNK®細胞	グローバル	Phase 1/2				

カーブアウト予定のパイプラインは表記より除いています。

2024年4月3日（現地時間）資産買収を完了し MultiStem®及びその関連資産を獲得

外部リンク

- MultiStem®に関するアサシス社へのマイルストーン・ロイヤリティ支払義務が消滅
- 400件以上の特許を含む知的財産を取得

| 主たる資産内容

- **MultiStem®の3つのIND*に関する資産（脳梗塞、ARDS、外傷の全臨床データを含む）**
脳梗塞急性期（第3相MASTERS-2試験）、ARDS（第2相MUST-ARDS試験）、外傷（第2相MATRICS-1試験）
* Investigational New Drug Application：新薬臨床試験開始申請
- **MultiStem®治験薬、及び3D培養製品**
数百例分の治験薬、3Dバイオリアクターで製造されたMultiStem®
- **動物領域のライセンス契約**
犬、猫、馬を中心とした哺乳類への MultiStem®ライセンス契約（米国市場）
- **SIFU技術**
超低温での輸送・保管を可能とする細胞凍結保管装置 SIFU™（Secure Integrated Freezer Unit）

アルフレッサ社（6月5日発表）

外部リンク

- 当社の取り扱う製品等の流通、販売に関する業務提携基本契約
- 総額16億円の第1回普通社債及び第2回普通社債買取契約

アステラス製薬（6月19日発表）

外部リンク

- アステラス製薬子会社AIRMとRPE細胞*の製造方法ならびに純化法に関する特許を、日本以外の全世界における本特許の出願国でAIRMに非独占的に許諾するライセンス契約
- 一時金3百万米ドルを7月に受領済、マイルストーンとして最大8百万米ドルをAIRMより受領見込み

*網膜色素上皮（Retinal Pigment Epithelium）細胞

ノーベルファーマ社（6月28日発表）

外部リンク

- 当社及び当社子会社プロセルキュア社とARDSを対象にMultiStem®の日本国内における開発販売提携に向けた契約締結予定期限を9月末まで延長
理由：米国での治験実施を含む開発戦略は日本国内における開発承認プロセスにも影響するため、FDAとのグローバル第3相試験に向けた9月の協議の合意内容を踏まえたうえで日本国内での開発戦略を検討・構築するため、本契約締結までの期間を延長する



事業概況

HLCM051 炎症

骨髄由来間葉系幹細胞

炎症

HLCM051

- 脳梗塞急性期
- ARDS

iPSC Platform

がん免疫療法

iPSC eNK^{*1}

iPSC由来の遺伝子編集NK細胞治療の対象

- 肺がん
- 肝がん
- その他候補

細胞置換

Universal Donor Cell (UDC)

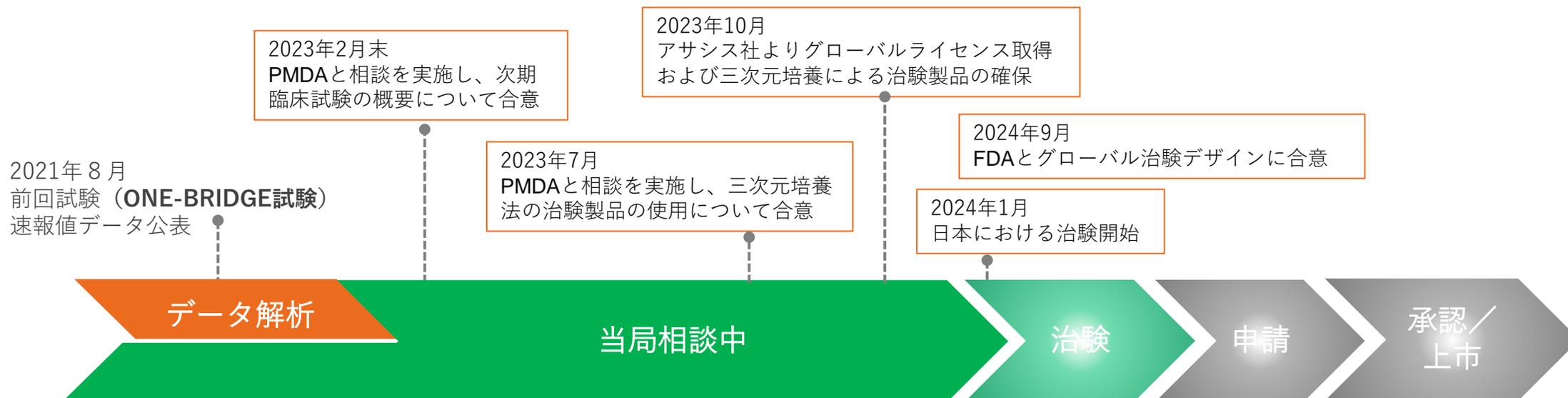
- UDC由来膵臓β細胞 / 糖尿病
- UDC由来視細胞・RPE細胞^{*2} / 網膜疾患
- 肝臓原基^{*2} / 肝疾患

炎症

グローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）準備

ARDS

- ・ 米国でのグローバル第3相試験準備（9月にFDAと試験デザインに合意）
- ・ 第2相試験（ONE-BRIDGE試験）の良好な結果とグローバル第3相試験の実施を前提に、条件及び期限付承認申請に向け規制当局と相談中



9月6日 FDAとグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS 試験）デザインについて合意

[外部リンク](#)

合意内容

- 主要評価項目：日本で完了した第2相試験（ONE-BRIDGE 試験）と同じくVFD（Ventilator Free Days：投与後28 日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数）
- 症例数：300例及び 400例の各段階の中間解析で統計学的有意と認められた場合に試験完了。最大 550 例
- 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確認

グローバル第3相試験実施の理由

- 米国においてFDAよりFast Track（医薬品）及びRMAT（細胞加工製品）に指定
 - 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／細胞加工製品に対し迅速承認を可能とする制度
- 開発資金が調達しやすい
 - 子会社ファイナンスを中心とし、ロイヤリティ投資、子会社第三者割当増資などでの調達を予定

国内では条件及び期限付承認申請予定

- ONE-BRIDGE試験の良好な結果と検証試験としてのグローバル第3相試験の実施を前提に、条件及び期限付承認申請の実施を決定

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る
日本国内でのARDS発症患者数はおよそ**2.8万人**、全世界では**110万人超**と推定*1

| ARDSとは*2

急性呼吸窮迫症候群（ARDS：Acute Respiratory Distress Syndrome）とは、
様々な**重症患者に突然起こる呼吸不全の総称**

発症後の**死亡率は全体の30～58%***2

原因疾患は多岐にわたるが、およそ1/3は肺炎が原因疾患である

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る

| 現在の治療法

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のみ



(出所) Athersys社提供資料

(出所)

*1 日本のARDS患者数は、疫学データの発症率と人口統計の日本総人口を基に当社推定
全世界は各国の調査データを合算して推定

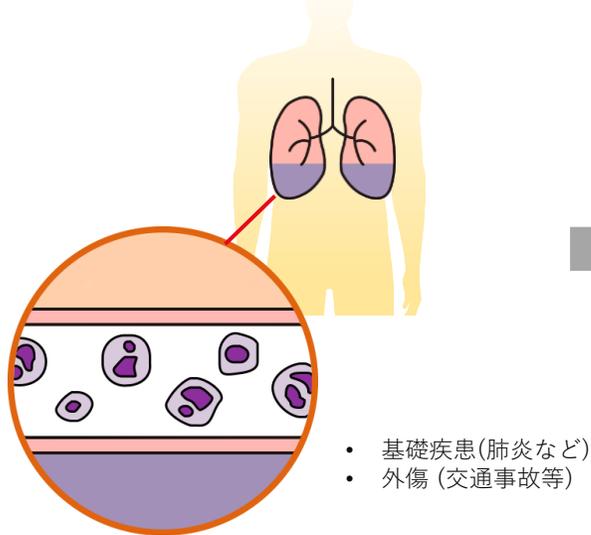
*2 ARDS診断ガイドライン2016



骨髄由来間葉系幹細胞 HLCM051 (MultiStem®) に期待される効果

- ・炎症の軽減、免疫機能の調節
- ・血管新生の促進
- ・傷害を受けた細胞及び組織の保護・修復の促進
- ・肺組織や呼吸機能の改善

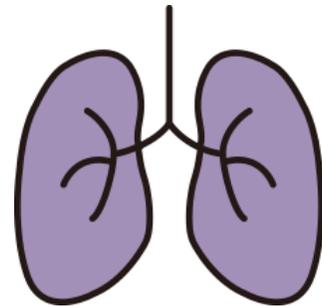
炎症性細胞が大量放出



- ・ 基礎疾患(肺炎など)
- ・ 外傷(交通事故等)

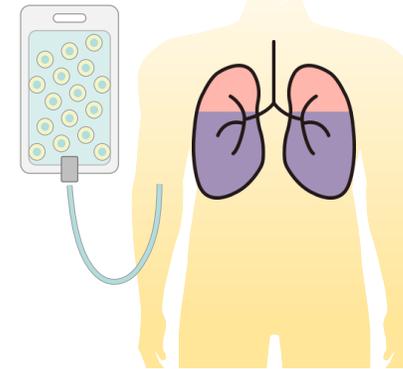
組織がダメージを受けると炎症性細胞が大量に放出される

炎症性細胞が肺を攻撃



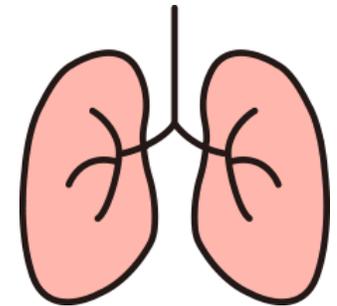
炎症性細胞が肺を攻撃するその結果、低酸素状態になり重度の呼吸不全におちいる

HLCM051投与

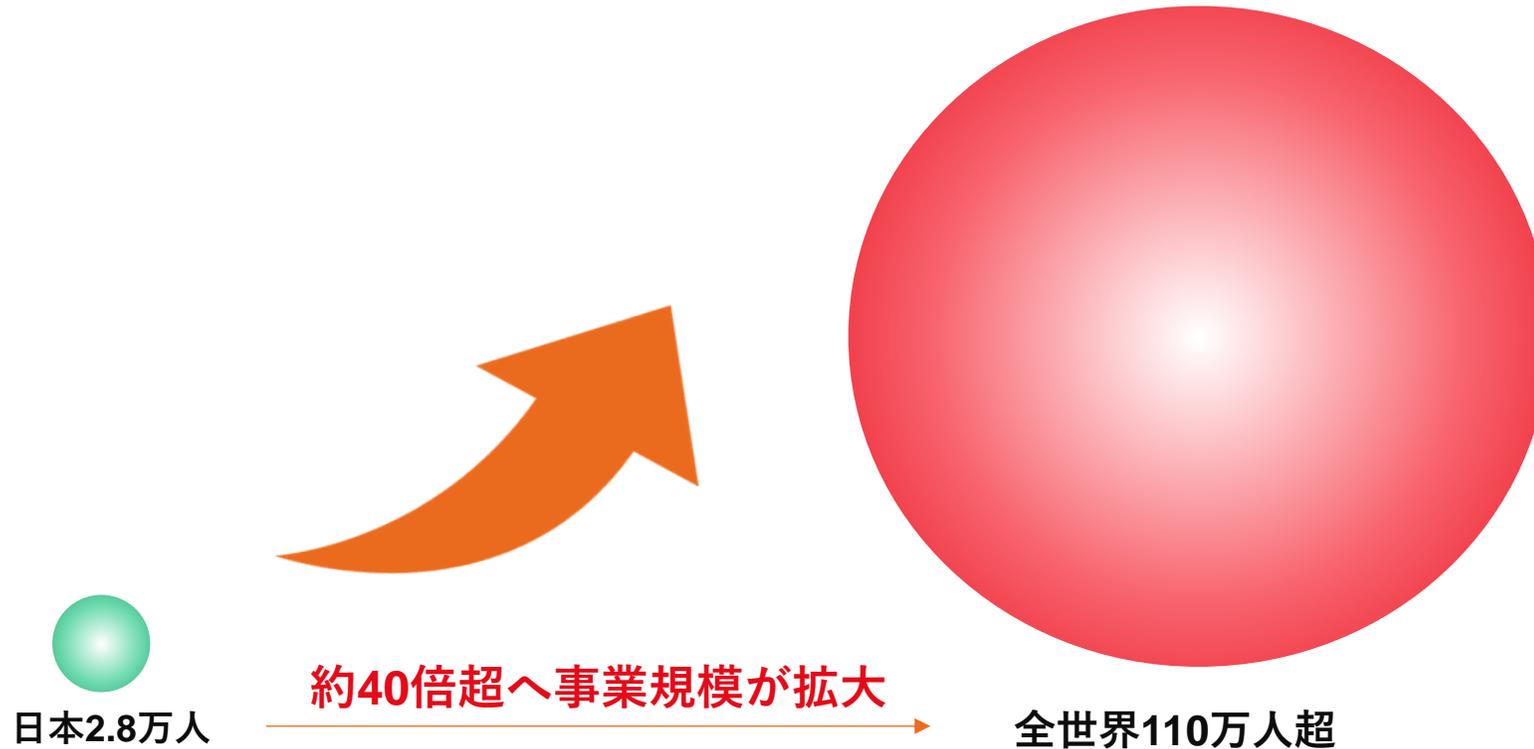


- ・ **肺における過剰炎症を抑制**
 - ・ **組織の保護、修復の促進**
- 静脈投与により、肺に集積

肺機能が改善



人工呼吸器の早期脱却、死亡率の低下が期待できる



事業方針

1) 最も投資効率の良い米国・日本市場で自社治験を行う

ファイナンスは子会社ファイナンスを中心とする

具体的な選択肢は、ロイヤリティ投資、子会社第三者割当増資など

2) 米国市場以外（日本、韓国、台湾、中国）はライセンス契約を締結し、早期の収益化を目指す

世界のARDS推計患者数

中国67万人、米国26.2万人、欧州13.3万人、日本2.8万人（市場規模順）

（出所）

日本：疫学データの発症率と人口統計の日本総人口を基に当社推定

米国：Diamond M et al. 2023 Feb 6. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2023 Jan-. PMID: 28613773

欧州：Community Research and Development Information Service (CORDIS) 2020 7-9

中国：song-et-al-2014-acute-respiratory-distress-syndrome-emerging-research-in-china

三次元培養法

- ARDS治験に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被験製品を用いることでPMDAと合意
- 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
- 三次元培養法により、コスト効率と優れた経済性が期待できる



ワーキングセルバンク



二次元培養



大量培養工程



変更採用

三次元培養



最終製品

(注) 上記二次元培養／三次元培養の画像はイメージであり、実際に当社製品に使用されている器具や手技とは異なります。

HLCM051は三次元培養承認製品としての先駆けとなる可能性がある

(注) 発表時点における同種細胞製品において、三次元培養での製造により承認された製品はありません (当社調べ)

炎症

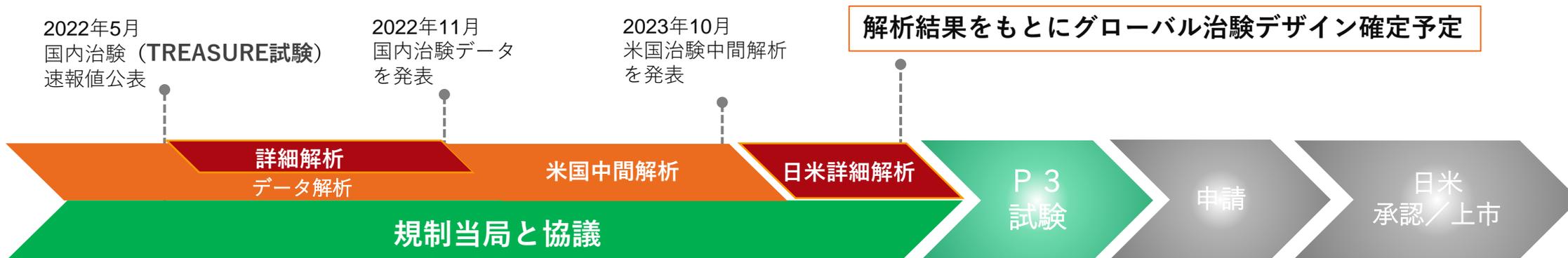
米国での中間解析結果をもとにグローバル第3相試験検討

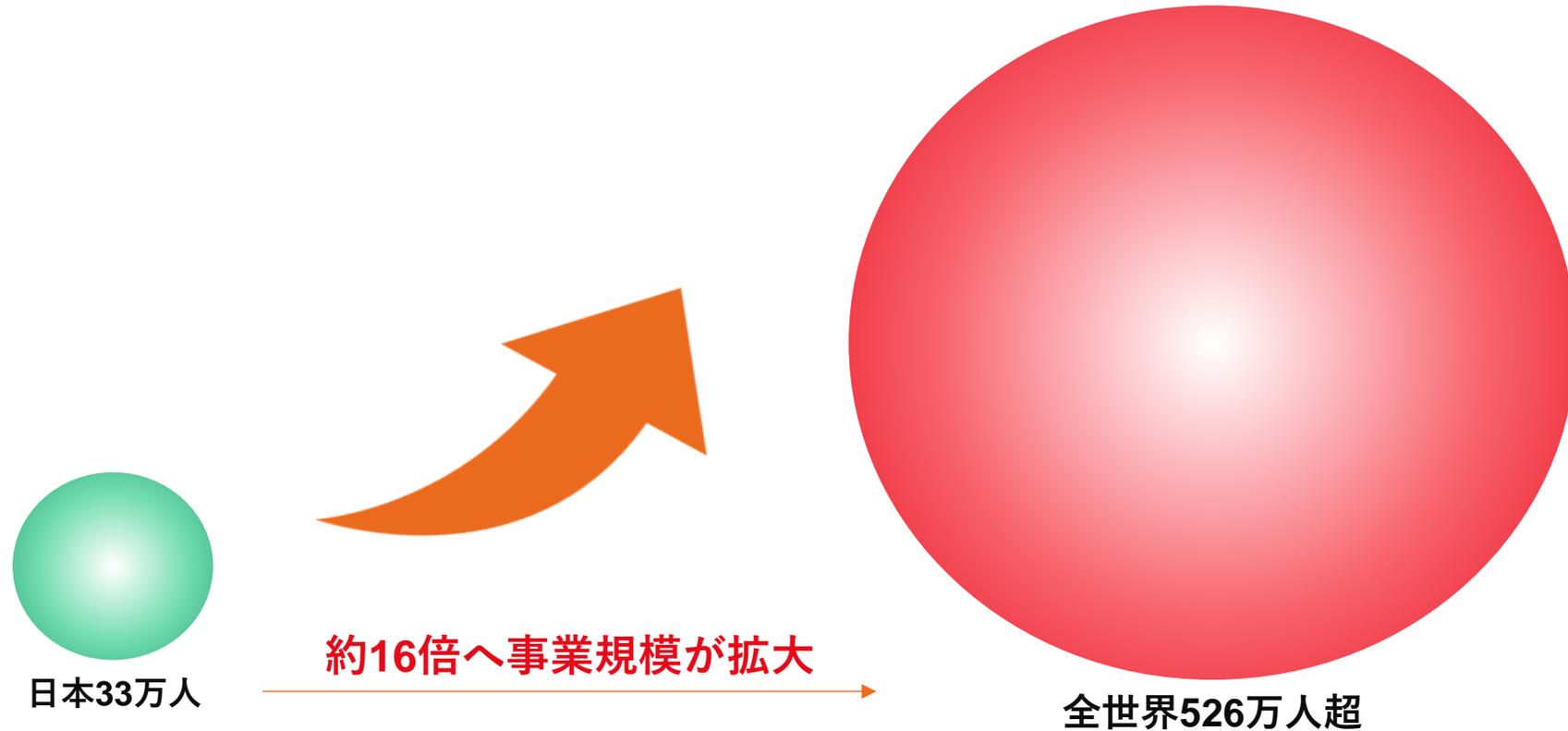
脳梗塞急性期

米国での治験^{*1}の中間解析^{*2}に関するさらなるデータ解析の結果をもとに、トータル400名を超える日・米のデータ（日・米、各々約200名）を分析し、高い確度で日米承認取得が可能な治験デザイン及び開発方針を確定する。

*1 主に米国で実施中の脳梗塞急性期を対象とした第3相試験（名称：MASTERS-2試験）

*2 治験の途中で独立した統計専門家により行われる解析。この結果により必要症例数の再設定が可能





事業方針

1) 最も投資効率の良い米国市場に集中し自社治験を行う

ファイナンスは子会社ファイナンスを中心とする

具体的な選択肢は、ロイヤリティ投資、子会社第三者割当増資など

2) 米国市場以外 (日本、韓国、台湾、中国) はライセンス契約を締結し、早期の収益化を目指す

世界の脳梗塞推計患者数

中国340万人、欧州84万人、米国69万人、日本33万人
(発症者数/市場規模順)

(出所)

日本：総務省消防庁、厚生労働省資料及びDatamonitor等を基に当社推定

米国：Stroke Facts[®] by CDC

欧州：Burden of Stroke in Europe: An Analysis of the Global Burden of Disease Study Findings From 2010 to 2019 及びAthersys社推計

中国：Estimated Burden of Stroke in China in 2020

MATRICS-1試験 (米国)

炎症

外傷

156 人の患者を対象とした外傷の第2相試験

米国国防総省とメモリアル・ハーマン基金で実施中

テキサス大学ヒューストン・ヘルスサイエンス・センター (UTH)

メモリアル・ハーマン・テキサス・メディカル・センターにおいて治験進行中

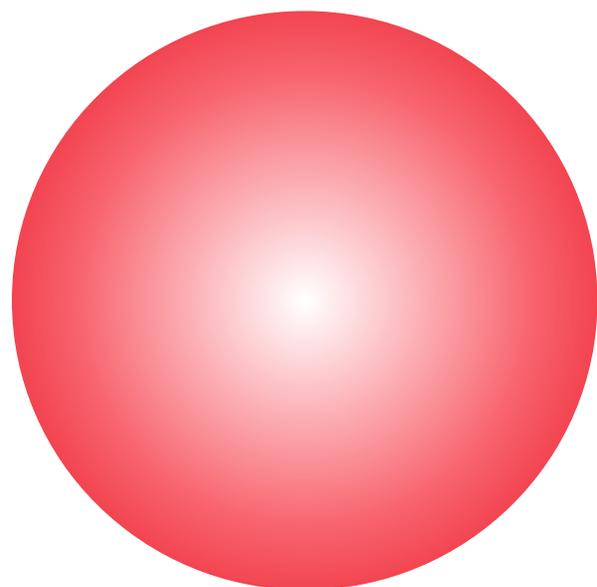
- 交通事故、労働災害、銃創などによる外傷を対象
- **45歳未満の死亡原因の第1位、米国の全死亡原因の第3位、QOLを低下させる原因の第1位***
- MultiStem®による外傷治療は承認後、米軍において大規模に採用される可能性がある

* 出典：the Centers for Disease Control (CDC)

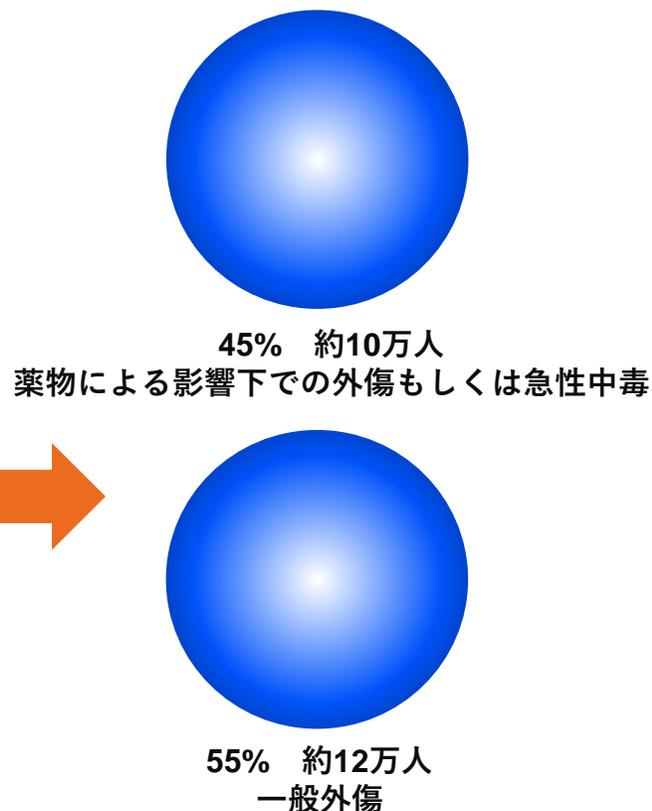
MATRICS-1試験

- 治験概要：外傷による多臓器不全／全身性炎症反応症候群へのMultiStem®を用いた治療
無作為二重盲検プラセボ対照第2相試験
- 主要評価項目：腎機能（投与後30日）
- 副次評価項目：死亡率など
- 対象患者：入院後数時間以内の初期蘇生を経た重傷外傷疾患

全身性炎症反応症候群 = SIRS: Systemic Inflammatory Response Syndrome と呼ばれる症候群



年間22万人（死亡者数）



市場特性

- 1) 全年齢死亡原因 第3位 年間22万人死亡
45歳未満の死亡原因 第1位 年間8万7千人
- 2) 戦時外傷

アフガニスタン	死傷者	2,354名	傷病者	20,149名
イラク戦争	死傷者	4,431名	傷病者	31,994名

(出所)
 米国国防総省 DOD
<https://www.defense.gov/casualty.pdf>

アメリカ疾病予防管理センター CDC
<https://wisqars.cdc.gov/lcd/?o=LCD&y1=2022&y2=2022&ct=10&cc=ALL&g=00&s=0&r=0&ry=0&e=0&ar=lcd1age&at=groups&ag=lcd1age&a1=0&a2=199>

アメリカ国立衛生研究所 NIH
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK547669/>

外傷から死に至る病態

外傷に起因する全身性炎症反応症候群（SIRS）は、外傷（交通事故、銃創など）、薬物、感染を始めとする外部からのストレスに対する過剰な自己防御反応であり、自律神経、内分泌、血液、免疫学的変化がまずおきます。

SIRS：Systemic Inflammatory Response Syndrome

この変化は、初めは体を防御する目的であっても、調節不可能なサイトカインストームとなり、大規模な炎症カスケードを引き起こし、臓器障害を起こし、死に至ります。

現在この状況に至った患者さんに対する有効な治療薬は無く、それぞれの症状に対して対処療法を行うのみです。

MultiStem®の期待される効果

ARDSなどの治験で示された通り、急性期の炎症を抑える力がサイトカインストームを抑え込み、患者さんの予後に効果があるものと期待されます。外傷の治験では、効果評価をしやすいよう主要評価項目を腎機能に設定して治験を進めております。

Universal Donor Cell (UDC)

細胞置換

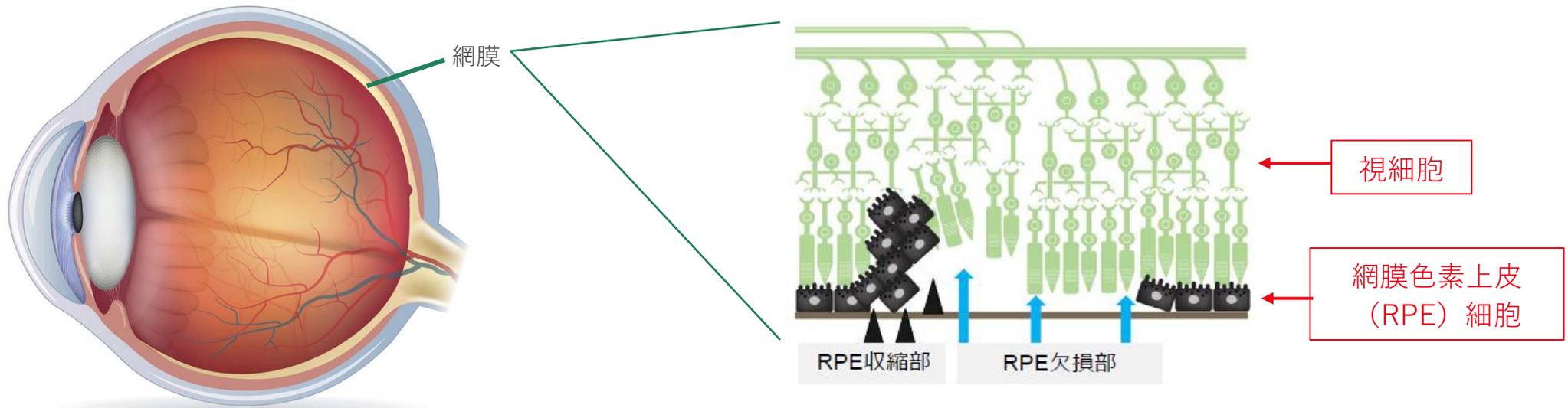


*2 将来的にUDCのプラットフォーム化を進める

網膜色素上皮裂孔

網膜色素上皮裂孔とは、加齢黄斑変性等により網膜に破れができることにより、網膜色素上皮（RPE）層が断裂、収縮し欠損する病態。視野の欠損や、視力低下を引き起こす

RPEが欠損しているが視細胞の機能が保たれている場合、色素上皮細胞移植での視力回復が期待できる



共同開発体制

- ・ 日本国内において、住友ファーマ株式会社とiPS細胞由来RPE細胞を用いた治療法の共同開発
- ・ 2023年6月：フェーズ1/2試験開始

被検者組み入れ開始

外部リンク

住友ファーマ株式会社と共同開発を進める他家iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞（開発コード：HLCR011）を用いた治療法において、網膜色素上皮裂孔の患者を対象とする第1/2相試験の被検者組み入れを開始

【本臨床試験の概要】

被験製品	HLCR011：iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞懸濁液
開発段階	フェーズ 1/2
対象	網膜色素上皮裂孔を有する患者
治験デザイン (目標症例数)	Part 1：非遮蔽、非対照（HLA ミスマッチ被験者 1名） Part 2：非遮蔽、ランダム化（投与群、観察群 各群 10名、計 20名）
主要評価項目	網膜色素上皮裂孔患者に HLCR011 を網膜下投与したときの安全性 (有害事象の発現者数および割合)
副次評価項目 (有効性)	視機能評価

AND medical groupとの共同研究契約

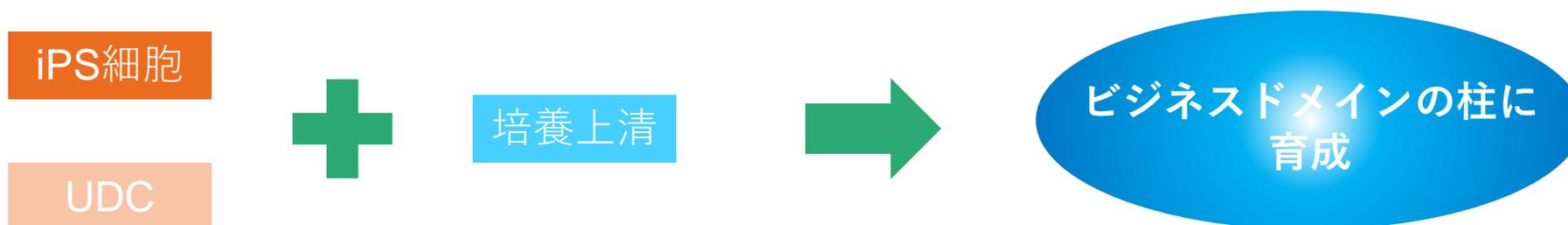
外部リンク

| 契約の概要

- AND medical groupが行う治療法に関して当社が再生医薬品の技術及び原材料を提供する
- 本契約締結により、当社は**一時金として 6,000 万円を受領**。その後、研究の進捗に応じて対価（マイルストーン）を受領し、一時金と合わせ**総額 1 億 8,000 万円を受領**する
- 原材料の製造方法及び製造体制が確立し共同研究の目的が達成された後、原材料を当社から AND medical groupに供給するための**供給契約を締結する予定**

| 再生医療等製品の生産時に発生する医療材料の活用

早期に売上を上げることで、当社の財務体質の強化と共に有効な資源活用を目指す



iPSC eNK[®] がん免疫





学会	発表日／場所	タイトル	発表者／所属
第23回日本再生医療学会総会	4月28日／新潟	ヒト他家 iPS 細胞由来遺伝子導入 NK 細胞（eNK®細胞: HLCN061）の中皮腫に対する効果検証	松本 成司 先生 兵庫医科大学 呼吸器外科
		iPS 細胞由来遺伝子導入ナチュラルキラー（NK）細胞：HLCN061 の肝細胞がんに対する抗腫瘍機能評価	中村 真由奈 先生 広島大学大学院 医系科学研究科 消化器・移植外科学
米国癌学会年次総会 (AACR Annual Meeting 2024)	4月8日／米国サンディエゴ	Verification of the effect of human allogeneic iPS cell-derived gene-engineered NK cells (eNK cells HLCN061) on mesothelioma	松本 成司 先生 兵庫医科大学 呼吸器外科
Stem Cell Research and Therapy	7月2日／論文掲載	Hypoimmunogenic human iPSCs expressing HLA-G, PD-L1, and PD-L2 evade innate and adaptive immunity	恒吉 法尋、他 株式会社ヘリオス神戸研究所
第30回日本遺伝子細胞学会学術集会	7月16日／横浜	固形がん治療を目指したキメラ抗原受容体（CAR）導入遺伝子改変ヒト iPS 細胞からのナチュラルキラー（NK）細胞の作製	山田 雅司 株式会社ヘリオス神戸研究所
第83回日本癌学会学術総会	9月19日／福岡	遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の悪性胸膜中皮腫を対象とした新しい治療法の提案	後藤久美子 株式会社ヘリオス神戸研究所
		胃がん腹膜播種モデルに対する遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の抗腫瘍効果	佐藤優香 株式会社ヘリオス神戸研究所
		遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の肺がんを対象とした画期的治療への挑戦	西垣扶佐子 株式会社ヘリオス神戸研究所
第5回日本石綿・中皮腫学会学術集会	9月28日／岡山	ヒト悪性中皮腫細胞株に対する遺伝子導入 iPSC 由来 NK 細胞（HLCN061）の抗腫瘍効果	後藤久美子 株式会社ヘリオス神戸研究所



決算概況

前年同期比で研究開発費は0.7億円増加し、当期利益は▲29.5億円となりました。

（単位：百万円）

	2023年12月期 第2四半期	2024年12月期第2四半期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上収益	108	508	401	主にRPE細胞製造方法等のライセンス契約に関する収入により増加
営業利益	▲1,555	▲1,331	224	販売費及び一般管理費の増加 +87 研究開発費の増加 +72
当期利益	▲1,384	▲2,951	▲1,567	金融収益の増加 +155 金融費用の増加 ▲2,025 (金融収益及び金融費用は主に非現金損益項目で構成、次頁以降の説明参照)
研究開発費	1,047	1,119	72	
当社従業員数 (社員のみ)	63名	59名	▲4名	

（注）財務数値の詳細につきましては、本日公表している第2四半期（中間期）決算短信 P8をご参照ください。

金融収益・金融費用の内容

当第2四半期連結累計期間において、金融収益**463**百万円、及び金融費用**2,100**百万円を計上いたしました。

金融収益の主な内訳は**Saisei**ファンドにおける外部投資家持分への損益振替額※¹ **431**百万円、及び受取利息**29**百万円の計上であり、金融費用の主な内訳はデリバティブ評価損※² **1,692**百万円、有価証券評価損**293**百万円、社債利息※³ **56**百万円及び新株予約権発行費**55**百万円の計上であります。

金融収益の前年同期比の増加額は**155**百万円であり、主な内訳は**Saisei**ファンドにおける外部投資家持分への損益振替額※¹の増加**201**百万円となります。金融費用の前年同期比の増加額は**2,025**百万円であり、主な内訳はデリバティブ評価損※²の増加**1,692**百万円、及び有価証券評価損の増加**293**百万円となります。

※¹ **Saisei**ファンドにおける外部投資家持分への損益振替額：**Saisei**ファンドにおける外部投資家持分への損益振替額とは、当社の連結子会社である**Saisei Bioventures, L.P.**の損益を**Saisei Bioventures, L.P.**に出資している当社以外のリミテッド・パートナーに対して振替計上しているものです。**Saisei Bioventures, L.P.**は、ゼネラル・パートナーであり、当社の連結子会社である**Saisei Capital Ltd.**により設立されたりリミテッド・パートナーシップです。

※² デリバティブ評価損：主に当社が発行しました第**21**回新株予約権及び第**22**回新株予約権を公正価値で評価していることにより発生する評価損であり、国際会計基準（**IFRS**）の規則に従い非現金損益項目です。

日本基準においては、新株予約権の払込額を純資産として計上しております。国際会計基準（**IFRS**）においては、新株予約権の払込額を負債に計上後、毎期末、公正価値を測定し評価損益を金融収益または金融費用に計上しております。

※³ 社債利息：当第2四半期連結累計期間に計上した社債利息**56**百万円のうち、**36**百万円は償却原価法により計上した費用であり、国際会計基準（**IFRS**）の規則に従い計上しております非現金支出費用です。

日本基準においては、社債の発行額を全額負債として計上し、発行手数料を費用として計上しておりますが、国際会計基準（**IFRS**）においては、社債の発行額から発行手数料を控除した手取り収入額を計上します。その結果、社債の額面金額と負債として計上される金額とに差異が生じるため、その差額を社債利息として每期償却（費用化）しております。

2024年6月末の流動資産は99億円（前期末比：+22億円）となり、資産合計は178億円となりました。

（単位：百万円 / 下段：構成比）

	2023年12月期末	2024年12月期末第2四半期		
			前年増減額	主な増減要因
流動資産	7,683 (50.7%)	9,860 (55.4%)	2,177	現金及び現金同等物の増加 +2,172 (現金及び現金同等物の残高 8,894)
非流動資産	7,471 (49.3%)	7,951 (44.6%)	480	その他金融資産の増加 +325
資産合計	15,155 (100.0%)	17,811 (100.0%)	2,656	
流動負債	5,169 (34.1%)	7,112 (39.9%)	1,943	その他金融負債の増加 +1,969
非流動負債	6,118 (40.4%)	7,433 (41.7%)	1,315	社債及び借入金の増加 +1,599
負債合計	11,287 (74.5%)	14,546 (81.7%)	3,258	
資本合計	3,867 (25.5%)	3,266 (18.3%)	▲602	当期利益の計上 ▲2,951 新株の発行 +2,181
負債及び資本合計	15,155 (100.0%)	17,811 (100.0%)	2,656	

（注）財務数値の詳細につきましては、本日公表している第2四半期（中間期）決算短信 P6-7をご参照ください。

事業全般については「[事業計画及び成長可能性に関する事項](#)」を参照ください。

外部リンク
有



「生きる」を増やす。爆発的に。

<お問い合わせ先>
株式会社ヘリオス
IR・財務経理部 IR広報グループ

報道関係者の方:pr@healios.jp
投資家の方:ir@healios.jp
<https://www.healios.co.jp/contact/>



Appendix

Cohort 1 HLCM051投与群において、安全性に問題は認められず、標準治療群と比べ、**VFDで9日**（中央値）、**死亡率で約39%**（減少率）の改善が示された。

Cohort 2 **安全性**に問題は認められず。死亡例を一例も出すことなく、投与後に5名全員が**28日以内**に人工呼吸器から離脱。うち3名は3日以内の早期に離脱を確認。

	Cohort 1	
	HLCM051投与群	標準治療群
主要評価項目		
VFD（投与後28日間のうち、人工呼吸器を装着しなかった日数）	20日	11日
副次評価項目		
死亡率（投与後180日以内）	26.3%	42.9%

	Cohort 2
	HLCM051投与
主要評価項目	
安全性	安全性に問題は認められず
副次評価項目	
VFD	25日
死亡率（投与後180日以内）	0%

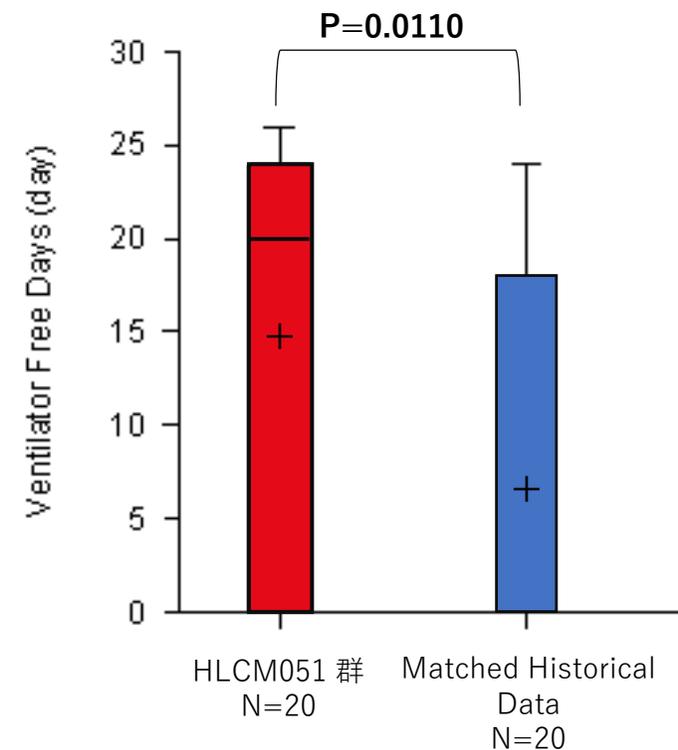
本試験結果に関する学術論文が査読付きジャーナル [Stem Cell Research & Therapy](#) に掲載

(出所)自社データ

ONE-BRIDGE試験と同様にVFDの延長と死亡率の改善効果が見られた。

マッチドヒストリカルデータと比べ、HLCM051群において、
VFDで8.1日（平均値）延長、死亡率が約33.7%低い傾向（減少率56%減）があった。

	ヒストリカルデータとの比較	
	HLCM051投与群	マッチドヒストリカルデータ
主要評価項目		
VFD（投与後28日間のうち、人工呼吸器を装着しなかった日数）	14.8日	6.7日
副次評価項目		
死亡率（投与後180日）	26.3%	60.0%



投与後1年間のフォローアップの結果では、MultiStem投与群の患者の1年後のQOL（クオリティオブライフ）は、非投与群と比較しARDS患者の社会復帰を早め、MultiStemが投与された患者に重篤な副作用はみられなかった

二重盲検試験全体解析結果

	MultiStem	プラセボ群
死亡率	25%	40%
投与後28日間のうち、人工呼吸器を装着しなかった日数	12.9日	9.2日
投与後28日間のうち、ICU（集中治療室）にいる必要がなかった日数	10.3日	8.1日

重症かつ肺炎を原因疾患とするARDS患者の解析結果

	MultiStem	プラセボ群
死亡率	<u>20%</u>	<u>50%</u>
投与後28日間のうち、人工呼吸器を装着しなかった日数	14.8日	7.5日
投与後28日間のうち、ICU（集中治療室）にいる必要がなかった日数	12.0日	5.0日

投与後90日後のデータを元に解析された上記の結果では、MultiStem投与群ではプラセボ群に比べて死亡率、投与後28日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数（VFD）などで改善傾向が見られた。なお投与後1年間のフォローアップの結果においても同様な傾向を示している。

詳細

治験	アサシス社により米英にて実施された探索的臨床試験（第I/II相試験）（MUST-ARDS試験）
対象患者	ARDSと診断された後、MultiStemあるいはプラセボを投与された患者（第II相試験では、MultiStem投与群20名、プラセボ群10名）
評価項目	死亡率 VFD: 投与後28日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数 ICU-Free Days: 投与後28日間のうち、集中治療室にいる必要がなかった日数

【参考】

重症疾患治療におけるMultiStemの炎症反応調節の作用機序に関する研究内容を発表

Scientific Reports 掲載

（2021年6月30日アサシス社ホームページへリンク）

欧米におけるARDSへの治験結果のジャーナル掲載

Intensive Care Medicine 掲載

（2021年11月30日アサシス社ホームページへリンク）

（出所）Athersys社提供資料

治験名	脳梗塞患者を対象としたHLCM051の有効性及び安全性を検討するプラセボ対照二重盲検第Ⅱ/Ⅲ相試験（TREASURE試験）
被験者	脳梗塞発症から18~36時間以内の患者
組み入れ	二重盲検、プラセボ対照
症例数 （患者数）	220名 (HLCM051投与110例、プラセボ（偽薬）110例）無作為割り付け
評価項目 （一部抜粋）	<ul style="list-style-type: none">・ Excellent Outcome（優れた転帰）を達成した被験者の割合 ＜主要評価項目:投与後90日＞・ Global Recovery（全般的機能回復）を達成した被験者の割合・ Barthel Index（BI：日常生活活動指標）≥ 95を達成した被験者の割合

投与90、365日後のHLCM051投与群とプラセボ投与群との結果比較

	90日			365日		
	HLCM051群	プラセボ群	p値 ^{*3}	HLCM051群	プラセボ群	p値
Excellent Outcome^{*1} (優れた転帰)	12名 (11.5%)	10名 (9.8%)	p=0.903	16名 (15.4%)	11名 (10.8%)	p=0.431
Global Recovery^{*2} (全般的機能回復)	20名 (19.2%)	16名 (15.7%)	p=0.762	29名 (27.9%)	16名 (15.7%)	p=0.037
BI ≥ 95 (日常生活活動指標)	31名 (29.8%)	24名 (23.5%)	p=0.437	37名 (35.6%)	23名 (22.5%)	p=0.045
安全性	死亡などの重大な有害事象は認められず					

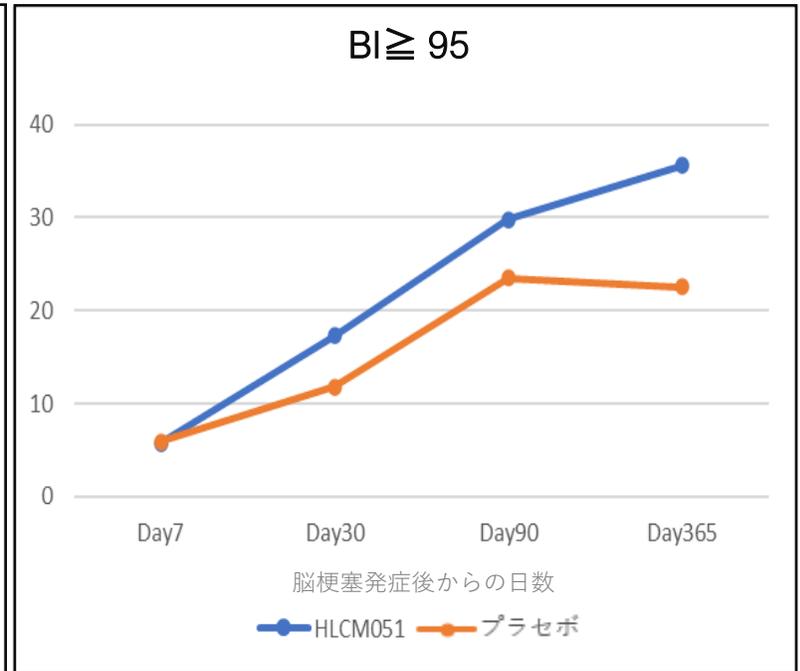
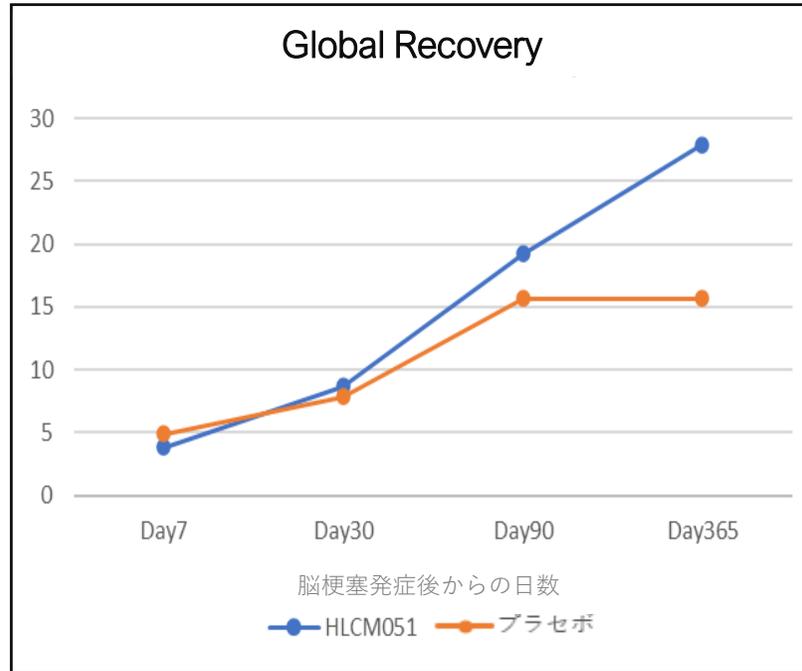
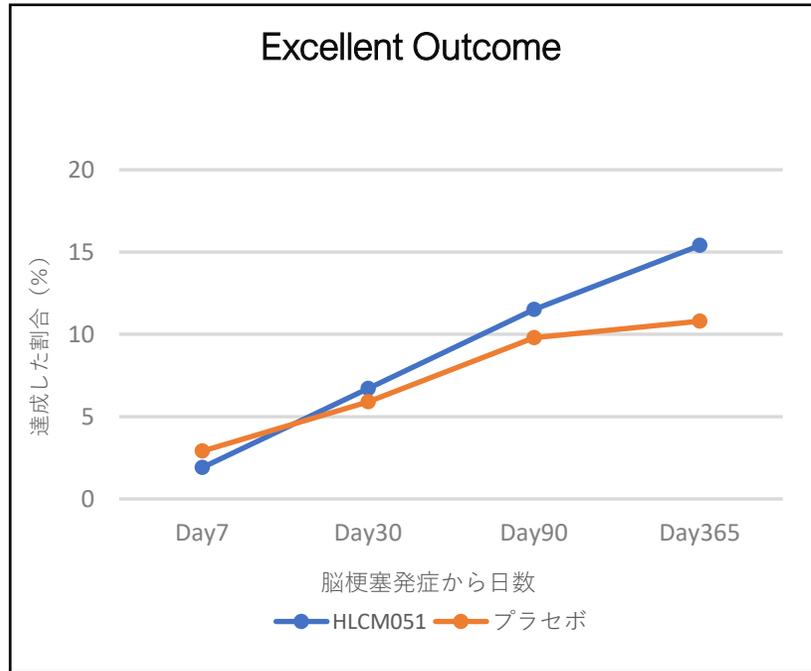
*1 Excellent Outcome (mRS ≤ 1、NIHSS ≤ 1、BI ≥ 95)：ほぼ日常生活に支障なし

*2 Global Recovery (mRS ≤ 2、NIHSS 75%以上改善、BI ≥ 95)：日常生活での自立（介護の必要なし）

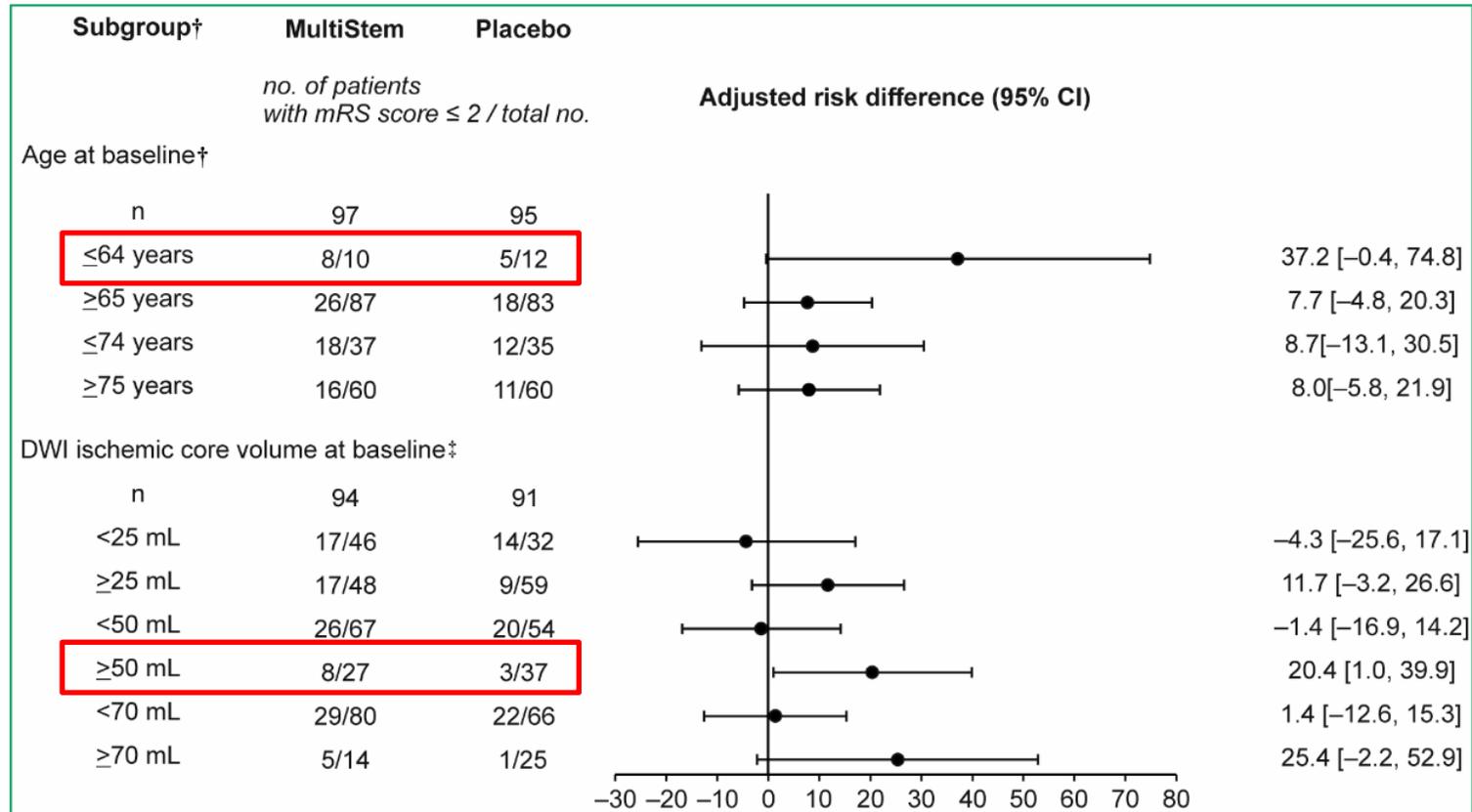
*3 p値 < 0.05であれば、HLCM051群とプラセボ群の間には統計的に有意な差がある（偶然ではない）と推定されます。

* 上記データは、第14回世界脳卒中学会、第40回日本神経治療学会にて発表されました

HLCM051群とプラセボ群の1年間の推移



- 1 脳梗塞体積が25 mL、50 mL、75mLと、より大きくなる程、有効な傾向が見られました。特に50 mL以上においては統計学的有意差を以て有効性が示されました。
- 2 被験者数は多くないものの、64歳以下の患者でより有効な傾向が見られました。



* 上記データは、第48回日本脳卒中学会学術集会にて発表されました