



新規治療薬開発へのロードマップ



Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2025/3/10

本資料は、株式会社ヘリオス（以下「当社」といいます）の企業情報等の提供のために作成されたものであり、国内外を問わず、当社の発行する株式その他の有価証券への勧誘を構成するものではありません。

本資料に、当社または当社グループに関連する見通し、計画、目標などの将来に関する記述がなされています。これらの記述には、「予想」、「予測」、「期待」、「意図」、「計画」、「可能性」やこれらの類義語が含まれますが、それらに限られません。これらの記述は、本資料の作成時点において当社が入手できる情報を踏まえた、前提および当社の考えに基づくものであり、不確実性等を伴います。その結果、当社の実際の業績または財政状態等は将来に関する記述と大きく異なる可能性があります。

本資料における記述は、本資料の日付時点で有効な経済、規制、市場その他の条件に基づくものであり、後発する事象により本資料における記述が影響を受ける可能性があります。当社は、法令または取引所規則により開示をする義務を負う場合を除き、その記述を更新、改訂または確認する義務も計画も有しておりません。本資料の内容は、事前の通知なく大幅に変更されることがあります。なお、本資料の全部または一部を書面による当社の事前承諾なしに公表または第三者に伝達することはできません。

本資料に記載されている当社および当社グループ以外の企業等に関する情報は、公開情報等から引用したものであり、かかる情報の正確性・適切性等について当社は何らの検証も行っておらず、また、これを保証するものではありません。

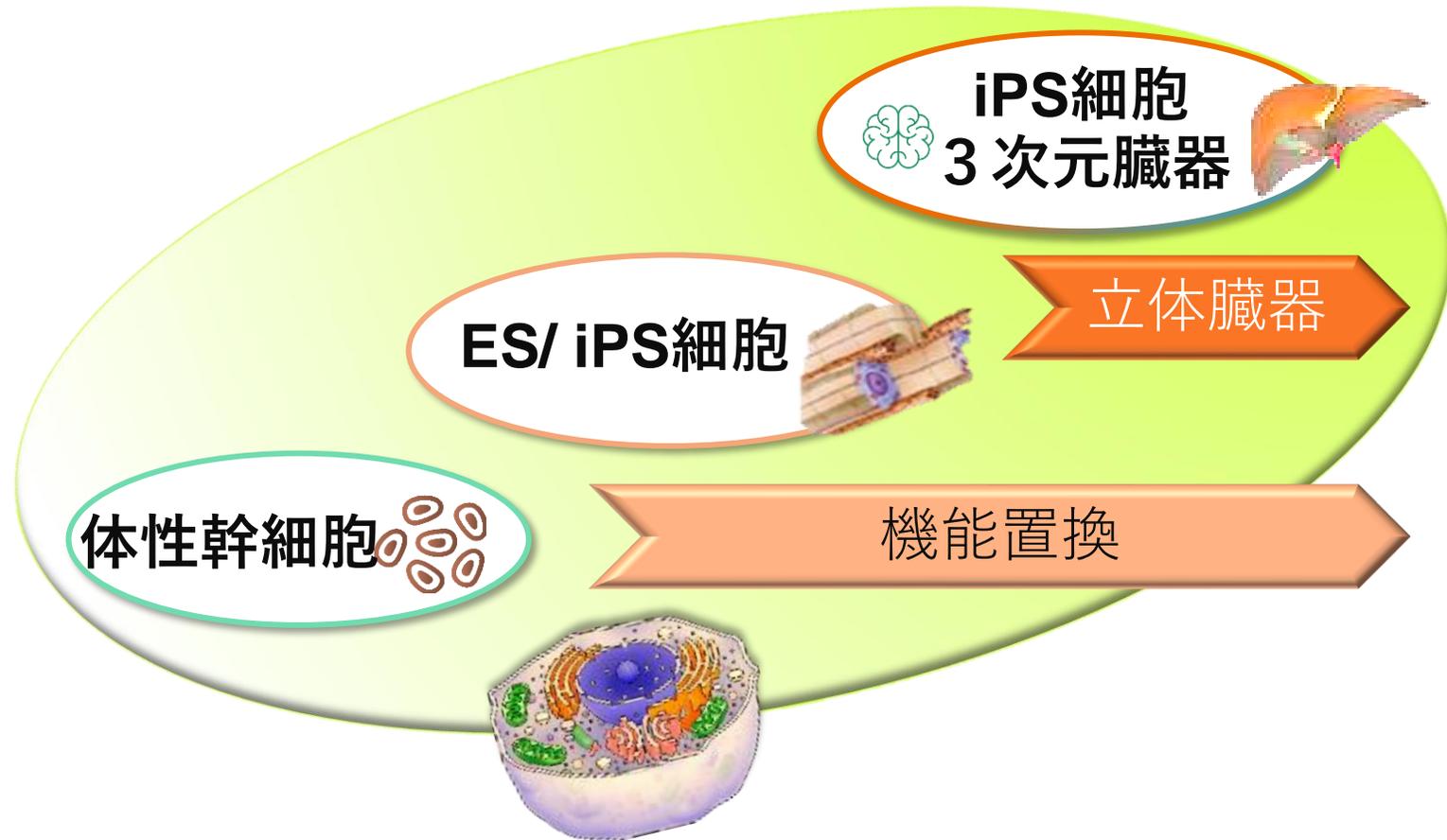
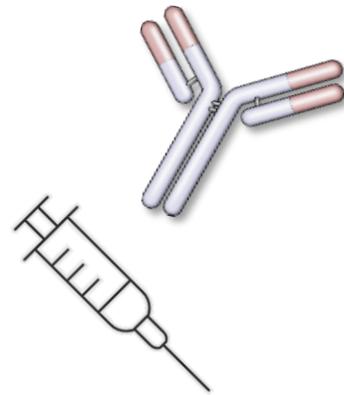
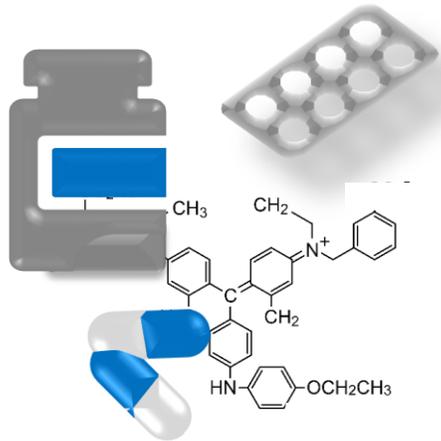
また、本資料に記載されている再生医療等製品（開発中のものを含む）に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。



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（ARDS、脳梗塞、外傷；以上炎症領域、固形癌；腫瘍領域）において、細胞医薬品・再生医療等製品に関する最先端の研究・開発・製造を進める。



低分子医薬品

抗体医薬品

細胞医薬品

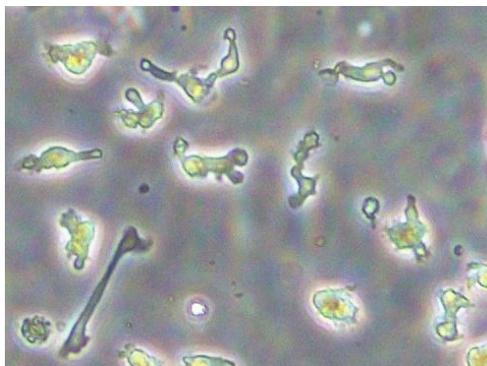
細胞医薬品・再生医薬品の開発

生体のさまざまな組織にある「**体性幹細胞**」を利用して、現在有効な治療法がない疾患等に対する新たな治療法を開発しています。

幹細胞等を用いて、臓器や組織の欠損や機能障害・不全に対し、それらの臓器や組織を再生し、失われた人体機能の回復を目指すのが「**再生医療**」です。

既存の医薬品では治療が難しいものや、治療法が確立されていない疾患に対して「**新たな治療法**」となる可能性があります。

「**iPS細胞**」は、さまざまな器官・細胞へと分化できる多能性と、ほぼ無限に増殖する能力（増殖能）を持ち、「再生医療」の可能性を飛躍的に拡大させることが期待されています。



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



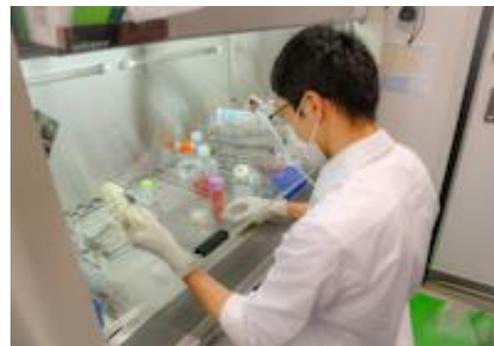
ヘリオス・神戸研究所のエリア(写真提供: 神戸都市振興サービス株)

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



世界の暦であるグレゴリオ暦が制定されたこの日に、
次世代のデファクトスタンダードとなる医療、医薬、医療機器を開発する為に
株式会社ヘリオスを設立いたしました。

「iPS細胞治療を医療現場に届ける事で世界中の人々に福音を届ける」
これは大きな責任を伴います。しかしながら、我々がその責任を恐れる事はありません。

ゴールへ至る道は困難に満ちているでしょう。足跡も、地図も、道標もありません。

このゴールへ至る近道も無ければ、10年や20年の時間が、かかるかもしれません。
しかしながら、我々が本日ここに第一歩を歩み始める事は、誰も止める事は出来ません。
我々がゴールへ向けてチームを集め、努力をする事を、誰も止める事は出来ません。
我々は小さな点から始まり、その点は線を作り、その線は大きな道を作るでしょう。
大きな道はiPS細胞治療で助けられた患者さんの喜びに満ちているでしょう。

躊躇する必要はありません。

歩みを始めましょう。

2011年2月24日



事業戦略

	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)	骨髄由来体性幹細胞	日本	承認申請準備中				条件及び期限付承認申請に向け、製造/臨床パッケージについてPMDAと合意 希少疾病用再生医療等製品	
				グローバル (米国)	Phase 3準備中				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	骨髄由来体性幹細胞	日本	Phase 2/3			日米の治験データに基づき規制当局と日本における申請方針相談中 先駆け審査指定制度認定 (日本) Fast Track及びRMAT指定 (米国)		
				グローバル (米国)	Phase 3					
HLCM051	外傷	骨髄由来体性幹細胞	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					Akatsuki社が研究開発を主導
	-	固形がん	CAR-eNK®細胞	グローバル					

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年度の実績

- 元開発パートナーであった米国アサシス社の実質的全資産を取得
- ARDS治療薬（MultiStem®）のグローバル第3相試験の実施についてFDAと合意
- ARDS治療薬の日本国内での条件及び期限付承認に向けた申請パッケージを決定し準備開始
- 培養上清に関してAND medical社と供給契約締結、初回分を受注

| 2025年度の目標

- ARDS 治療薬の日本国内での条件及び期限付承認の申請
- ARDS治療薬の米国を中心としたグローバル第3相試験の開始
- 培養上清の本格的出荷及び売上計上

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)

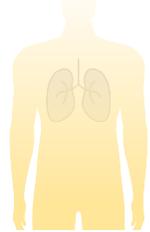
*1 日本のARDS患者数は、疫学データの発症率と人口統計の日本総人口を基に当社推定
全世界は各国の調査データを合算して推定

*2 ARDS診断ガイドライン2016

肺炎を原因疾患とするARDS患者を対象にHLCM051の有効性及び安全性を検討する第II相試験

ONE-BRIDGE試験 Cohort概略

挿管人工呼吸器を使用中のARDS患者



COVID-19
検査

陰性

陽性

Cohort1：肺炎由来ARDSを対象

ランダム化

2
: 1

HLCM051群
20例

標準治療群
10例

有効性および安全性評価
 ・2019年4月～2021年3月
 ・主要評価項目：
 VFD*(Ventilator Free Days)
 ・副次評価項目（一部抜粋）：
 死亡率（28日、60日、90日、180日）

*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

Cohort2：COVID-19由来ARDSを対象

HLCM051投与 5例

安全性評価
 2020年4月～2020年8月

COVID-19肺炎由来症例の患者組み入れ(Cohort2)は、従来実施してきた治験の投与群(Cohort1)とは区別して実施

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

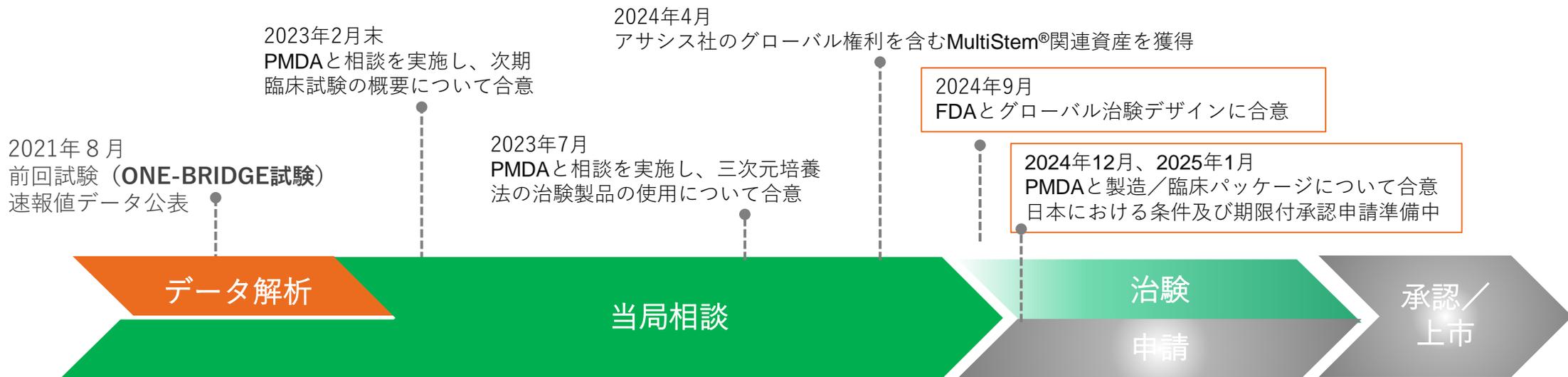
(出所)自社データ

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実施を決定
- ・ 申請に向けた製造／臨床パッケージについてPMDAと合意



12月25日 PMDAと承認後の製品の製造法や品質管理等合意 [外部リンク](#)

合意内容

- 上市後に使用するマスターセルバンクに関する事項など、当該申請パッケージの製造に関する内容について概ね確認
- 当該申請に向け、商用製造に向けた主要事項について合意。体制整備を含めた様々な準備を進める

1月15日 PMDAと申請における臨床パートについて合意 [外部リンク](#)

合意内容

- 日本での承認に向け米国を中心としたグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）での臨床評価項目
- 上記試験への日本人組み入れ割合及び市販後調査で見べき臨床評価項目



今後の時間軸とアクションが決定。非臨床・臨床データは充足。

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

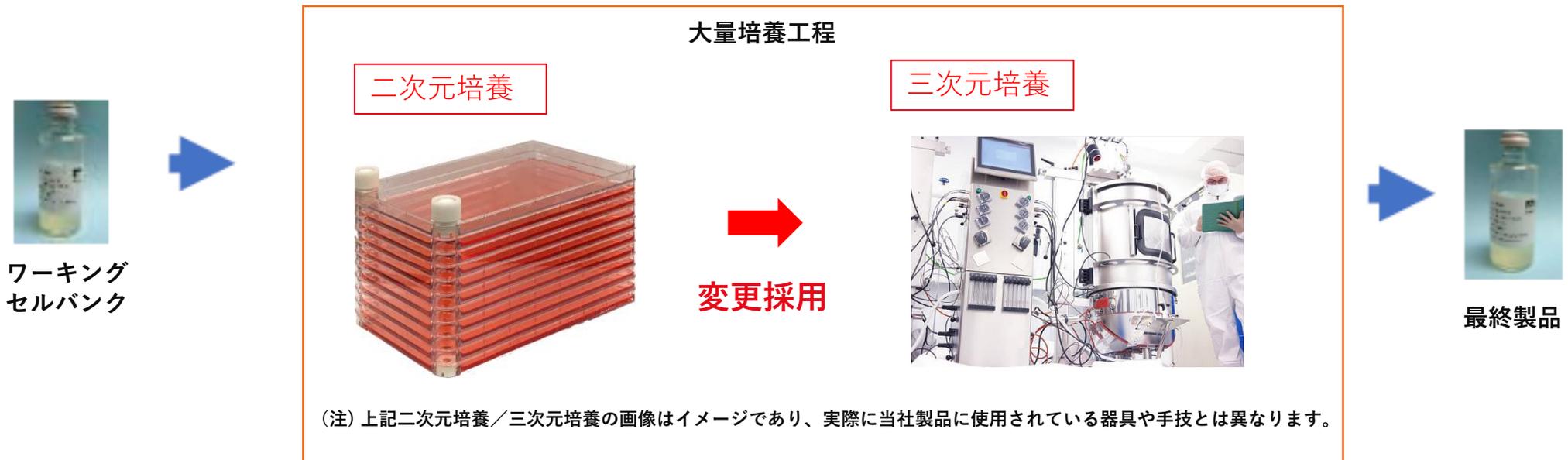
- 主要評価項目：日本で完了した第2相試験（ONE-BRIDGE 試験）と同じくVFD（Ventilator Free Days：投与後28日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数）
- 症例数：300例及び400例の各段階の中間解析で統計学的有意と認められた場合に治験完了。最大550例
- 三次元培養法によって製造された治験薬を用いる道筋について確認

グローバル治験実施の理由

- 対象患者数が多く組み入れが容易、かつ市場規模も大きい
- 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

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



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)



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
- 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

HLCM051は薬物治療のないARDS初の再生医療等製品となり得る可能性

- 現在は人工呼吸器およびECMOによる呼吸不全への対処療法のみ。
- ECMOは重症呼吸不全に対する究極の対処療法ではあるが、血栓予防に抗凝固薬が必須であり、出血リスクを伴う。また特別な技能をもつ複数の医療従事者が必要で管理コストも高い。

患者への貢献 ⇒ 新たな治療の提供 死亡率、QOLの改善

- 患者救命率、QOLの向上
- 治療期間の短縮（ICU使用や入院の日数等）

医療への貢献 ⇒ 医療従事者・病院負担軽減

- ECMOを含む人工呼吸器の効率的使用
- 患者一人あたりの医療資源の抑制



ECMO



人工呼吸管理

AND medical groupとの共同研究契約及び供給契約

| 契約の概要

外部リンク

外部リンク

- 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
- 2024年より実施中の共同研究における最終マイルストーン達成の対価 6,000 万円を 2025年5 月に受領予定（契約総額 1 億 8,000 万円の内、締結時に一時金6,000 万円、2024年Q4にマイルストーン 6,000万円を受領済）
- 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、2025年1月に原材料を当社から AND medical groupに供給するための**供給契約を締結済**

| 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



AND medical 社と培養上清供給契約締結

外部リンク

| 供給契約の概要

- 初回発注分として4億2,000万円相当の対象製品を受注。また2億円を先払いで受領する（2025年Q2以降）。
- 今後の発注時期および製品の出荷量・出荷時期について、AND medical 社と協議のうえ順次決定
 価格：多くの市販品が1ccあたり約1万円から3万円で販売されているが（当社調べ）、AND medical group の求める品質を確認しつつ、最終的な1cc当たりの販売単価が決定される予定

| セルリソース社との本合意

外部リンク

- 細胞培養上清液の製造に関する業務提携に向けた基本合意書締結
 （製造拠点立ち上げ並びにその後の運用について、ビジネスフレーム、役割分担及び費用負担等について協議する）

| 医療材料事業部の新設（2025年1月1日付）

外部リンク

- 今後の培養上清の安定的な製品供給と事業の拡大に向けた体制構築

ベースコスト（事業オペレーション）

* eNK[®]細胞の研究開発業務の外部化による固定費削減を織り込む

グローバル第三相試験コスト

日本向け（MultiStem[®]）製造委託

* 単純なコストではなくて、日本承認後販売する在庫積み増しコストでもある

ワラント行使

単月黒字化予定

培地・化粧品材料 売上

ARDS(日本) 売上

ARDS(米国) 中間解析提携一時金

発注受付開始

化粧品向け
出荷開始

フル出荷開始

1Q
2025

2Q

3Q

4Q

1Q
2026

2Q

3Q

4Q

1Q
2027

2Q

3Q

4Q

| 2024年度の実績

- 元開発パートナーである米国アサシス社の実質的全資産を取得
- ARDS治療薬（MultiStem®）のグローバル第3相試験の実施についてFDAと合意
- ARDS治療薬の日本国内での条件及び期限付承認に向けた申請パッケージを決定し準備開始
- 培養上清に関してAND medical社と供給契約締結、初回分を受注

| 2025年度の目標

- ARDS 治療薬の日本国内での条件及び期限付承認の申請
- ARDS治療薬の米国を中心としたグローバル第3相試験の開始
- 培養上清の本格的出荷及び売上計上

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/>