



株式会社ヘリオス WEBセミナー

Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2025/11/25


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。

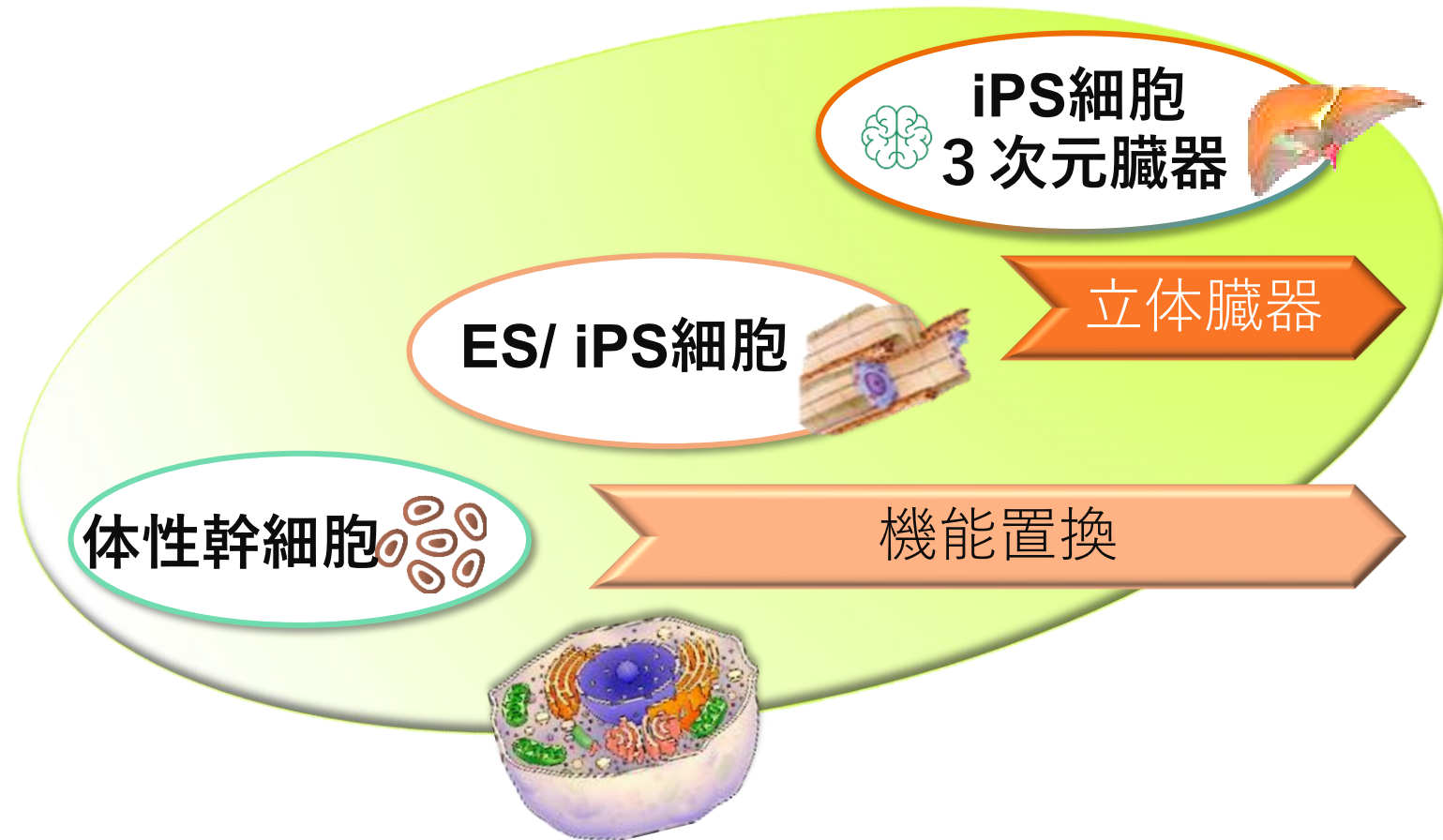
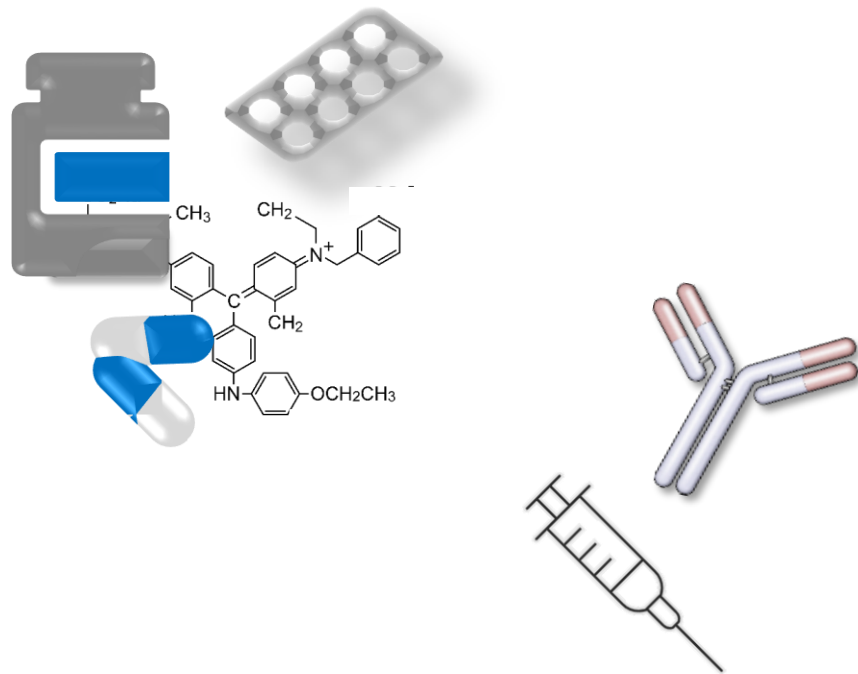
また、本資料に記載されている再生医療等製品（開発中のものを含む）に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。



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

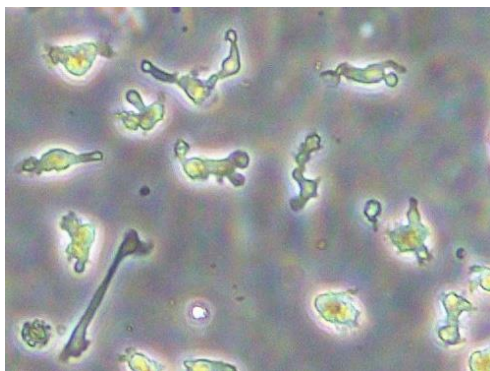
細胞医薬品・再生医薬品の開発

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



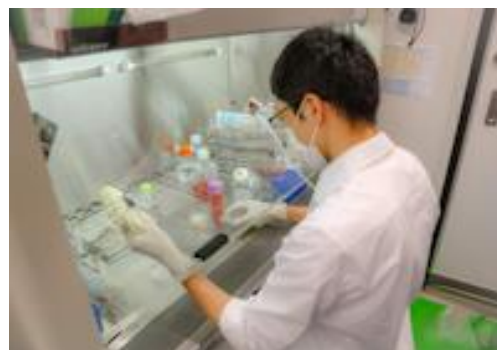
ヘリオス・神戸研究所のエリア(写真提供: 神戸都市振興サービス㈱)

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



事業概況

| 収益化への三本の柱

医療材料

HLCM051培養上清

Universal Donor Cell
iPS細胞株など

SIFU技術

培養上清

共同研究

AND medical group
マイルストーン受領／供給契約締結

2026年 外販開始

骨髄由来幹細胞

ARDS

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申請準備

脳梗塞急性期

日本における条件期限付承認申請方針

外傷

米国防総省予算で第2相試験

iPS細胞

細胞置換

RPE細胞

株式会社RACTHERA*と共同開発

がん免疫細胞療法

遺伝子編集NK細胞治療

株式会社Akatsuki Therapeuticsが
研究開発を主導

ARDS／脳梗塞急性期の日本における条件及び期限付承認申請を目指す

世界最大市場の米国を中心としたARDSグローバル第3相試験開始へ向けた準備

共同開発契約、カーブアウト、助成金の組み合わせ

	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と協議、日本からも被験者組み入れ 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完了、承認申請相談中			条件及び期限付承認申請に向け、PMDAと協議中 先駆け審査指定制度認定 (日本)
				グローバル (米国)			Phase 3			Fast Track及びRMAT指定 (米国) *1
	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			RACTHERA社*3と共同開発 (2028年度上市目標)

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

* 3 住友ファーマ株式会社より再生・細胞医薬事業を承継

がん免疫細胞療法	AKT-01/ HLCN061	中皮腫、肺がん、 肝がん、胃がん	eNK®細胞	グローバル						Akatsuki社が研究開発を主導 (開発コードAKT-01追加)
	—	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。

	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と協議、日本からも被験者組み入れ 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完了、承認申請相談中			条件及び期限付承認申請に向け、PMDAと協議中 先駆け審査指定制度認定 (日本)
				グローバル (米国)			Phase 3			Fast Track及びRMAT指定 (米国) *1
	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			RACTHERA社*3と共同開発（2028年度上市目標）

* 2 Retinal Pigment Epithelium：網膜色素上皮細胞
* 3 住友ファーマ株式会社より再生・細胞医薬事業を承継

がん免疫細胞療法	AKT-01/ HLCN061	中皮腫、肺がん、 肝がん、胃がん	eNK®細胞	グローバル						Akatsuki社が研究開発を主導 （開発コードAKT-01追加）
	—	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。

- **脳梗塞急性期治療薬**の日本国内での条件及び期限付承認の申請／先駆け審査指定制度に基づくローリングサブミッション（**2025年～2026年早期**）
- **ARDS治療薬**（HLCM051）の日本国内での条件及び期限付承認の申請（脳梗塞急性期の対応と並行し、優先順位・時期等を確定予定）
- **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（**2026年**）
- **培養上清**の出荷及び売上計上（**2026年**）

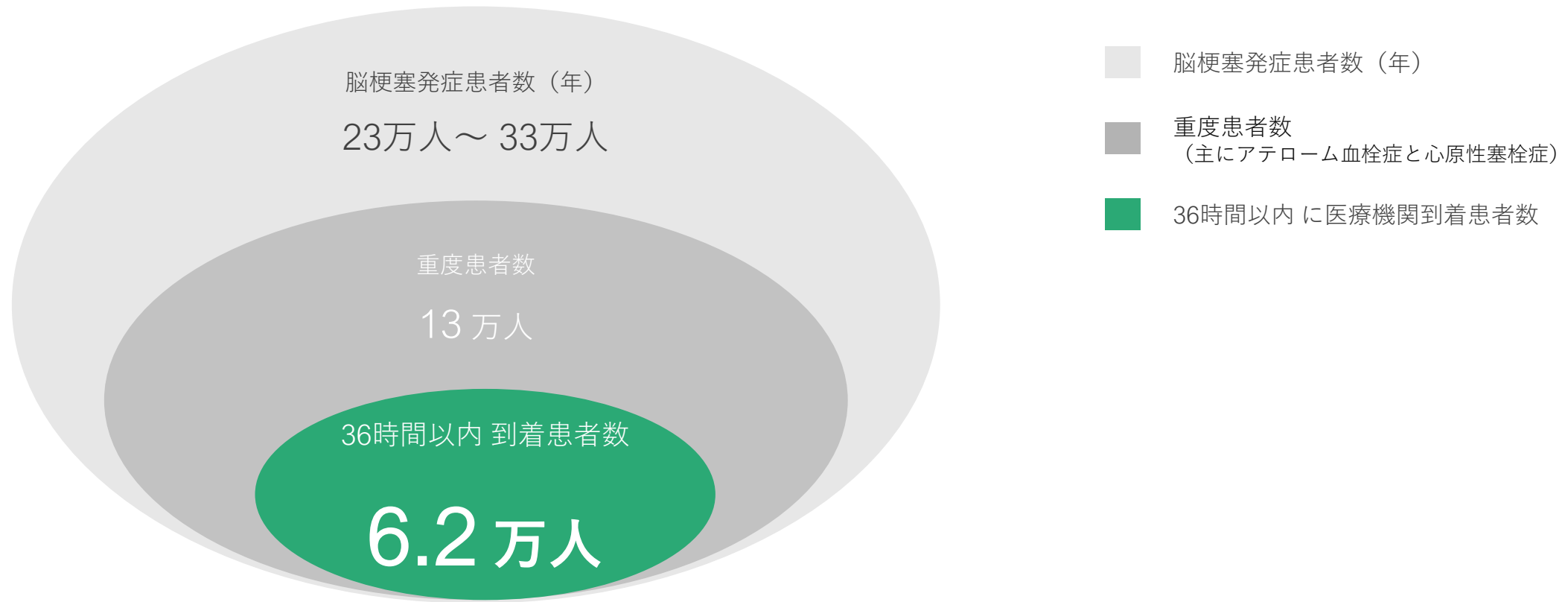


炎症・脳梗塞急性期

日本国内での条件及び期限付承認の申請

- **ARDS**の申請と並行し、脳梗塞急性期について申請の準備を行う
- 先駆け審査指定制度を活用した国内での条件及び期限付承認申請を目指し、検証試験の詳細について**PMDA**と協議を行う

本製品の国内対象患者数は年間6.2万人と推定

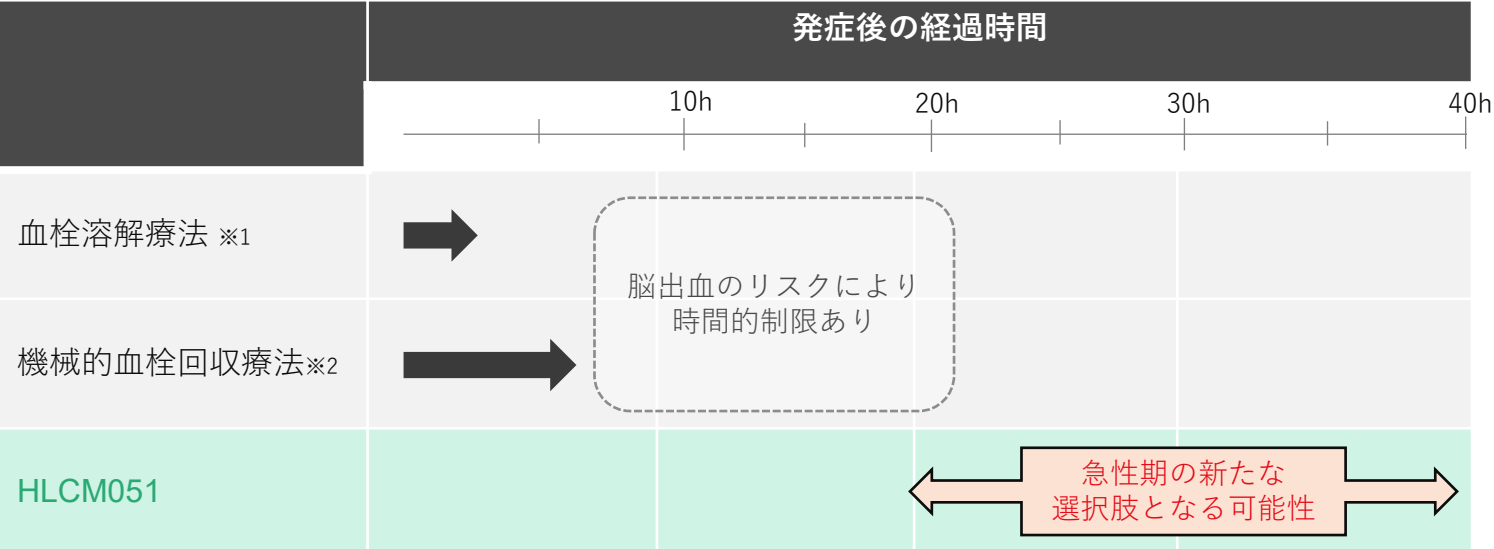


（出所）日本の年間発症患者数は、総務省消防庁、厚生労働省資料及びDatamonitor等を基に当社推定。

（出所）36時間以内の到着患者割合47％は、当社実施市場調査を基に推定。

脳梗塞発症後に、「治療できる時間がより長い新薬の開発」が待たれる疾患領域

発症後経過時間に応じた治療



※1 脳の血管に詰まった血の塊を溶かす血栓溶解。
※2 閉塞した脳動脈内の血栓を直接回収する等にて血流を再開させる治療法。

脳梗塞とは

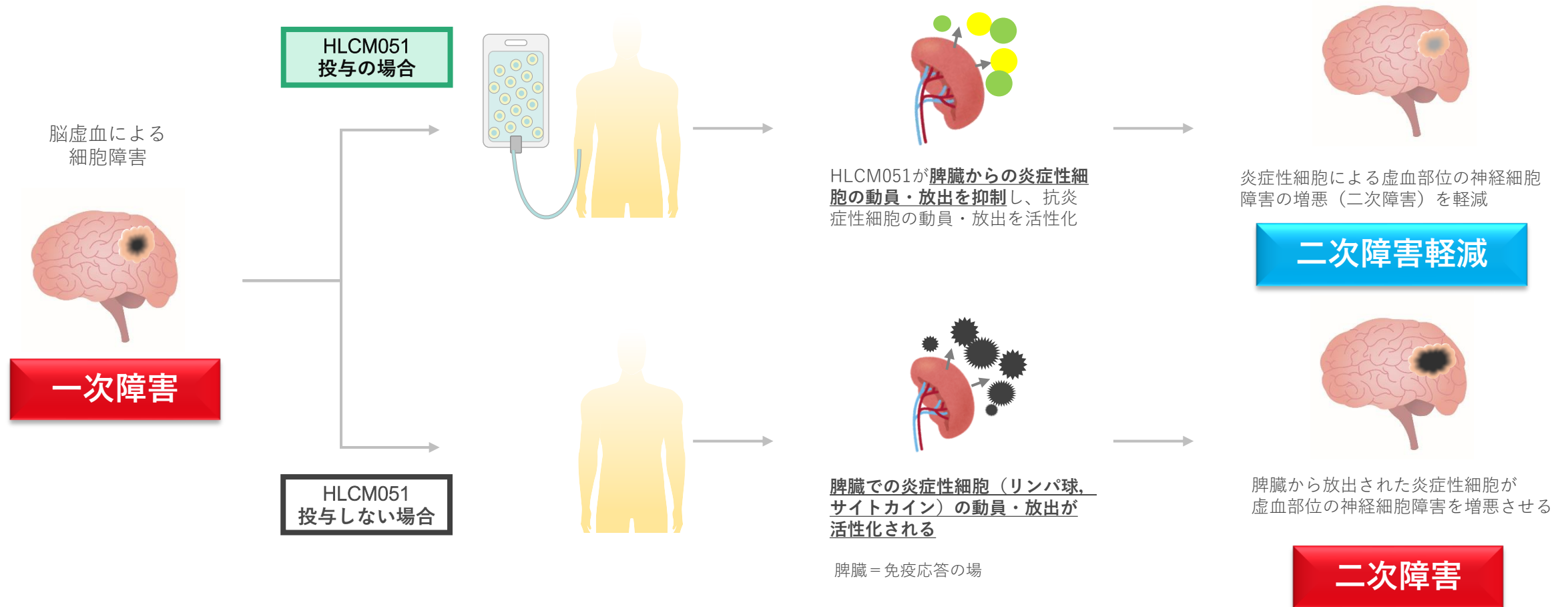
脳に酸素と栄養を供給する動脈が閉塞し、虚血症状になることで脳組織が壊死する病気。脳卒中には、脳出血と脳梗塞が含まれ、70～75%が脳梗塞と言われる。



感覚障害や言語障害など壊死した部位により症状は異なるが、後遺症を残し、65歳以上の寝たきりの37.9%、介護が必要になった者の21.7%が脳梗塞が原因と言われる。

注) 本資料では、脳梗塞急性期に対する主だった治療法と、一般的な発症後の各治療可能時間を簡略に示すことを目的としております。治療については、患者の状況や症状分類に応じて実施され、上記以外の治療法も実施されております。

(出所) Athersys社提供資料



（出所） Stroke. 2018 May;49(5):1058-1065.Fig.2を基に図式化

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

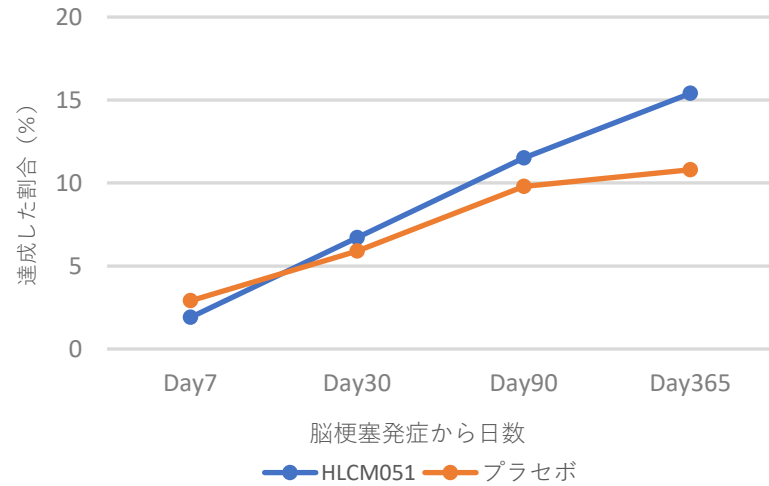
*2 Global Recovery (mRS≤2、NIHSS 75%以上改善、BI≥95)：日常生活での自立（介護の必要なし）

*3 p値<0.05であれば、HCLM051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。

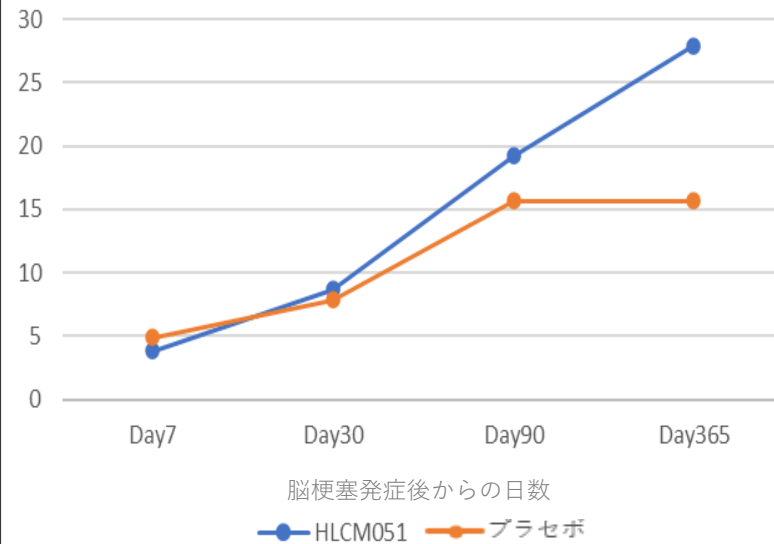
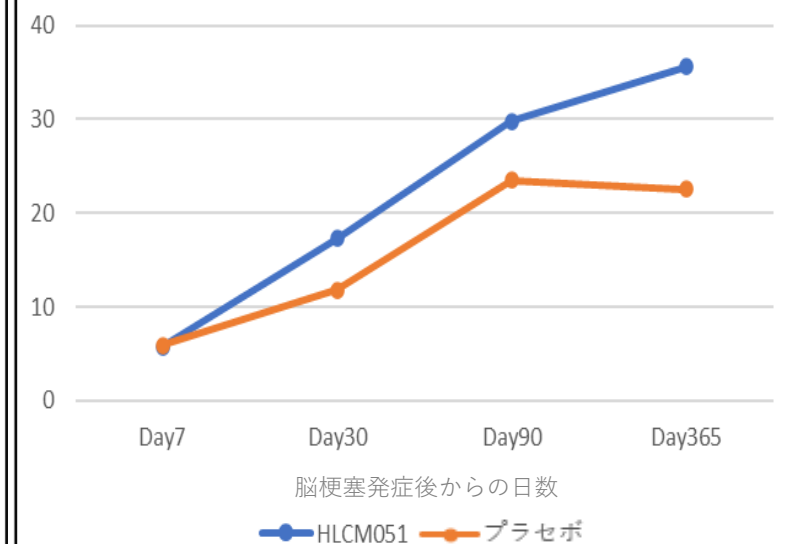
* 上記データは、第14回世界脳卒中学会、第40回日本神経治療学会にて発表されました

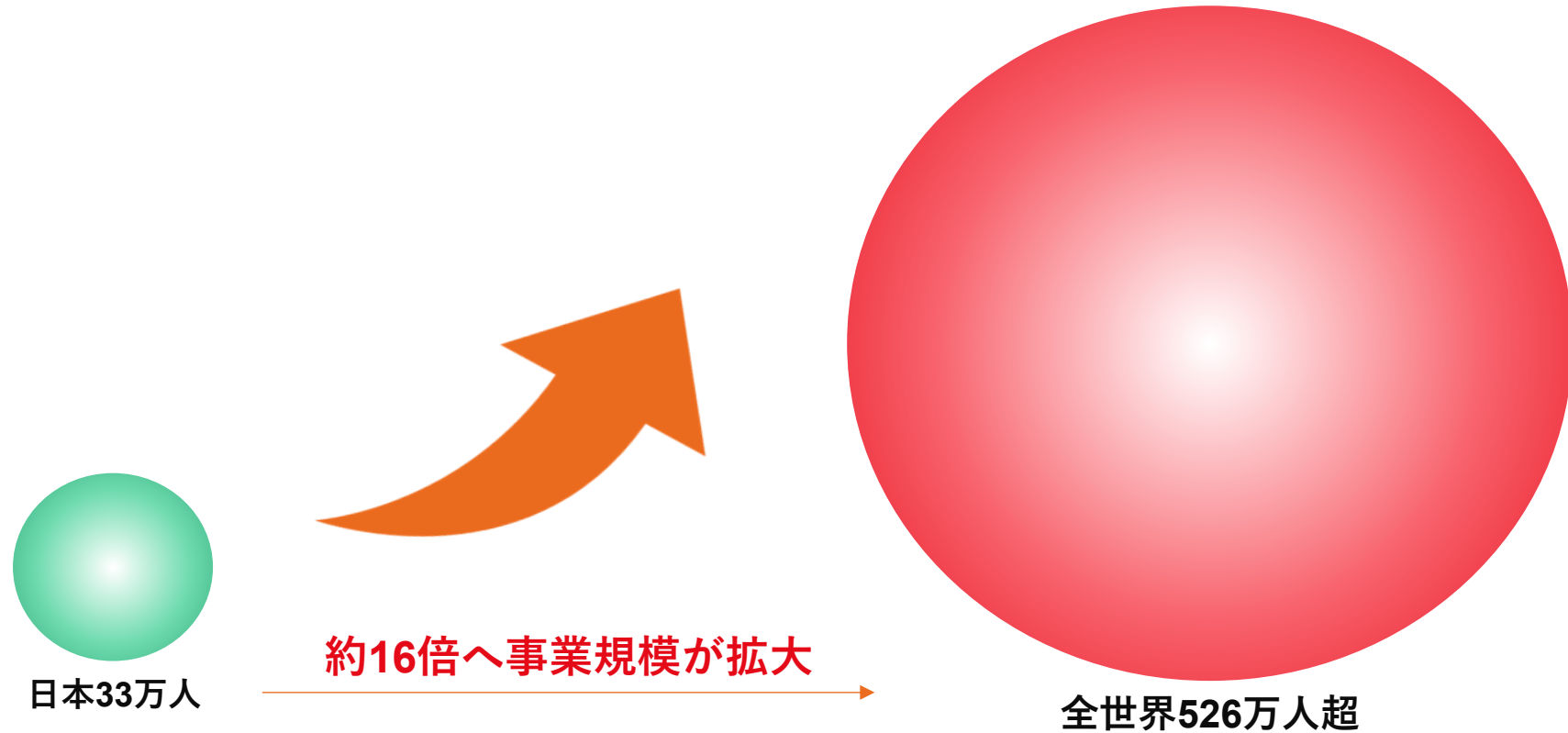
HLCM051群とプラセボ群の1年間の推移

Excellent Outcome



Global Recovery

BI \geq 95



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

炎症

国内での条件及び期限付承認申請に向け準備中

脳梗塞急性期

- ・ 医療特化型のLLMを開発し、電子カルテと連携したデータ収集体制を構築
- ・ PMDAと製造販売後調査での調査項目の合意を含めて協議し、条件及び期限付承認申請を目指す（先駆け審査指定品目）

2025年4月
NEDO公募事業「日本語版医療特化型LLMの社会実装に向けた安全性検証・実証」においてLLM構築を決定

2025年～
検証試験としてLLMを用いた電子カルテと連携したレジストリを用いて製造販売後調査を実施する予定



三次元培養法

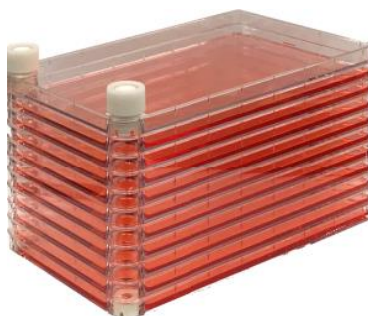
- ARDS治験に大量生産が可能となる三次元培養法によって製造された被験製品を用いることでPMDAと合意
- 従来の二次元培養法と比べ、上市後の商用生産においても大量かつ安定的に製品を供給することが可能
- 三次元培養法により、コスト効率と優れた経済性が期待できる



ワーキング
セルバンク



二次元培養



大量培養工程

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。

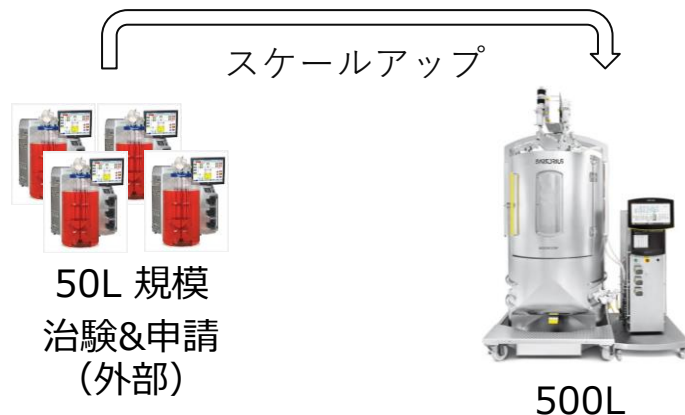
HLCM051は三次元培養承認製品としての先駆けとなる可能性がある

(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)

CDMO事業の重要性・具体性

- 再生医療が真にインパクトを与える産業となるためには、他家で大量製造できることが必須であり、**世界初の三次元培養された承認再生医療製品**の製造を目指す
- 社内にて細胞治療に関して**世界最大級となる500L規模の培養**を達成し、**品質が維持される**ことを確認済
- 経産省補助金等を活用し、**世界最大の細胞大規模商用生産(CDMO)**を日本拠点として準備する
- 自社製造の効率化と品質の確保を進めるとともに、国内外の製薬企業からの受託事業を**新たなキャッシュフローの源泉**とする

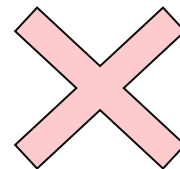
大量培養の課題をAI／ロボットを用いたコストダウンで解決



生産余力として4万人分／年を確保可能

AI実験計画

少ない実験回数で
高性能な培養条件
を発見



ロボット工学

結果のばらつきを抑え
再現性の高いデータ
を取得

高精度データ x 高効率な探索の好循環

高額な原材料のコストダウンと安定供給をめざし培養条件、
原材料評価を圧倒的効率性をもって実施

Minaris社／横浜事業所

- 当社独自の3Dバイオリアクター製造プロセスを利用したHLCM051の商用生産を準備中



- 神奈川県横浜市神奈川区恵比須町 1 澁澤ABCビルディング 1 号館 4 階
- 約4,500m²
- 治験薬および商用製造(GMP、GCTP)
- クリーンルーム6部屋
- 製法開発
- 製品保管(凍結)
- 最寄空港: 東京国際空港(羽田空港)、成田国際空港

[Minaris社グローバル製造拠点（英語）](#)

Healios／神戸

- 経済産業省 令和 6 年度補正予算「再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業費補助金」（約 70億円の助成）を活用し、グローバル市場に対応可能なCDMO事業のインフラ構築と商業化を目指し、将来的な自社生産に向けた拠点も準備中

[神戸医療産業都市](#)



炎症・ARDS

日本国内での条件及び期限付承認の申請

- 日本国内にてMinaris社での4基の50Lバイオリアクターによる商業用製造設備の設置を含め、条件及び期限付承認申請に必要な製造能力を確保する
 - 並行して承認取得後の十分な製品供給体制を確保するため、500Lバイオリアクターによる製造施設と製造規模拡大に向けた設備を並行して準備する
 - 脳梗塞急性期の申請に向けた事前協議を進め、両適応症における売上最大化を目指す
 - 事業化に向け、営業・マーケティング機能をもつ組織を立ち上げる
- (参考)
- [経済産業省 令和6年度補正予算「再生・細胞医療・遺伝子治療製造設備投資支援事業費補助金」を用い（約70億円の助成）グローバル型CDMO事業を展開](#)
 - [Minaris Advanced TherapiesとのHLCM051商用生産に向けた協業推進](#)

下線部外部リンク

米国を中心としたグローバル第3相試験の開始

- 治験（REVIVE-ARDS試験）におけるHLCM051の有効性評価の検証妥当性を高めるべく、治験の最終プロトコールについてFDAと協議する
- FDAの合意を得た後、日本国内での一部プロトコール変更について、PMDAと協議を行う
- 上記確認後、IND（治験申請）及び治験開始

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発症患者数は約**2.8万人**^{*1}、全世界では**110万人以上**^{*2}と推定

| 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%**^{*3}

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症療法のみ



（出所）Athersys社提供資料

（出所）

^{*1} 日本呼吸器学会認定施設でのARDS患者数を基に、日本総人口から当社推定

^{*2} 日本、米国、欧州、中国の各公式データを合算

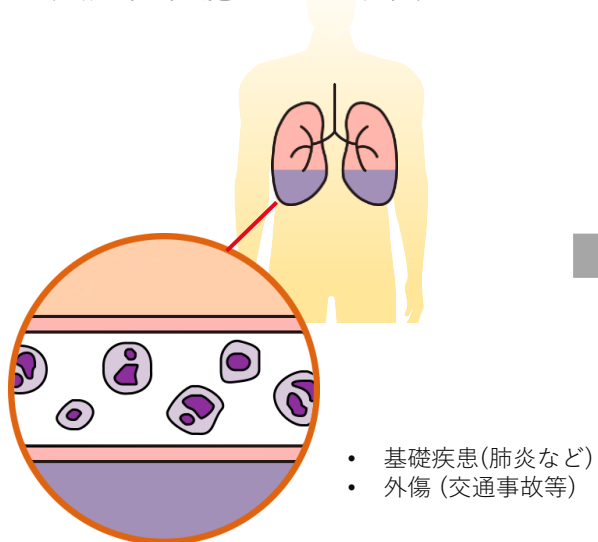
^{*3} ARDS診断ガイドライン2016



骨髓由来体性幹細胞 HLCM051 に期待される効果

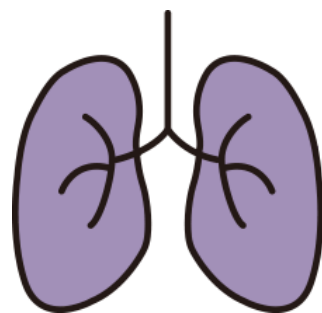
- ・ 炎症の軽減、免疫機能の調節
- ・ 血管新生の促進
- ・ 傷害を受けた細胞及び組織の保護・修復の促進
- ・ 肺組織や呼吸機能の改善

炎症性細胞が大量放出



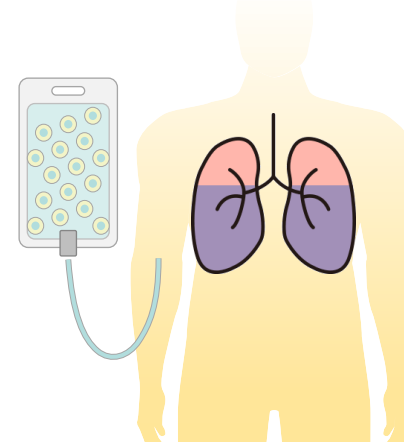
組織がダメージを受けると
炎症性細胞が大量に放出される

炎症性細胞が肺を攻撃



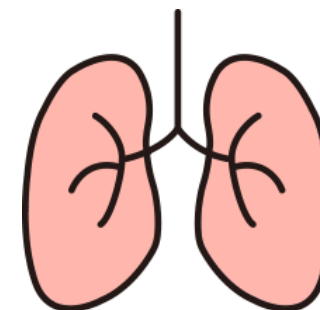
炎症性細胞が肺を攻撃する
その結果、低酸素状態になり
重度の呼吸不全におちいる

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

- 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

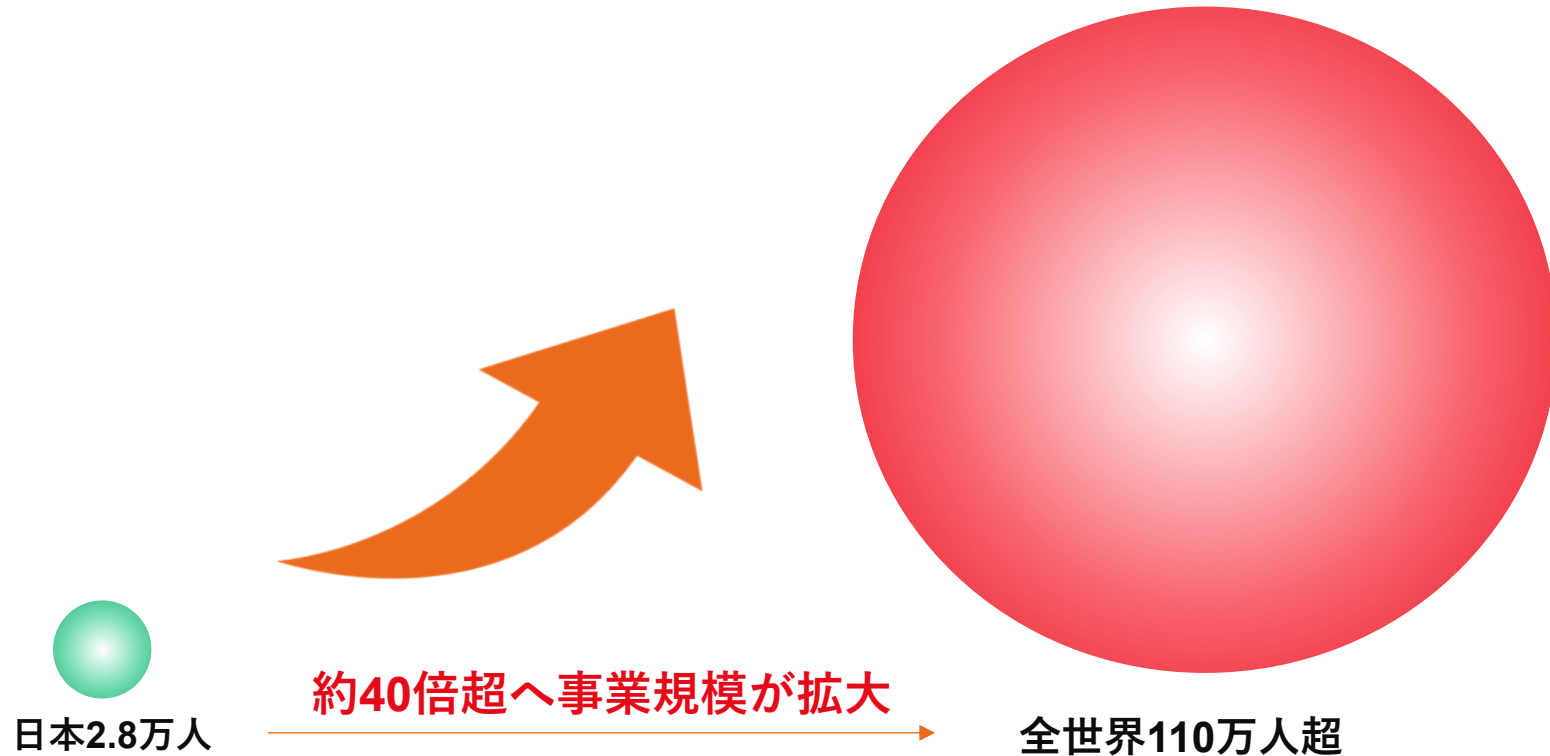
安全性に問題は認められず。死亡例を一例も出すことなく、投与後に 5 名全員が**28日以内**に人工呼吸器から離脱。うち 3 名は 3 日以内の早期に離脱を確認。

	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%

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

	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%

(出所)自社データ



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

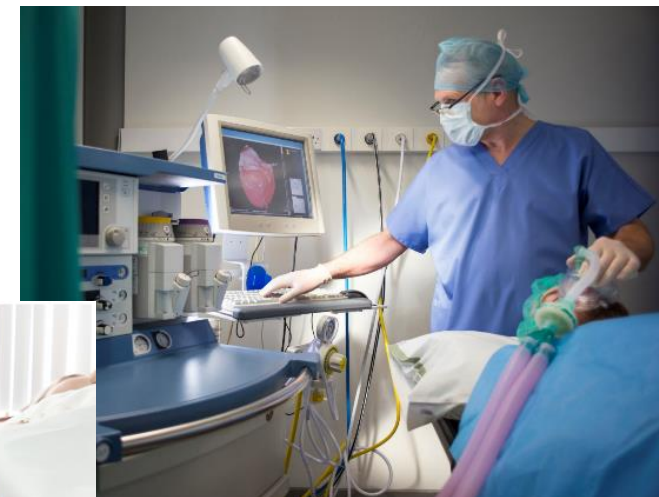
- 患者救命率、QOLの向上
- 治療期間の短縮（ICU使用や入院の日数等）

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

炎症

条件及び期限付承認申請、グローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）実施予定

ARDS

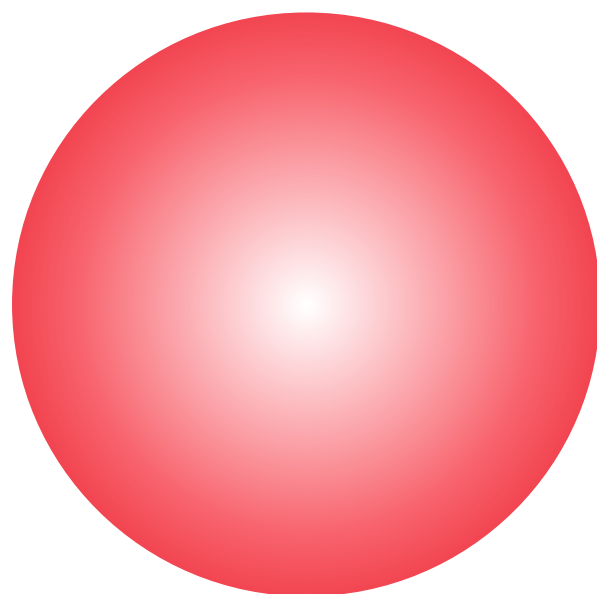
- ・ 米国でのグローバル第3相試験準備（FDAと有効性評価の検証妥当性向上に向けた一部プロトコール変更の協議）
- ・ 第2相試験（ONE-BRIDGE試験）の良好な結果と検証試験としてのグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）の実施を前提に、国内での条件及び期限付承認申請準備
- ・ 申請に向けた製造／臨床パッケージ、グローバル第3相試験への国内被験者組み入れについてPMDAと合意、製造準備中

2024年12月、2025年1月／4月
PMDAと製造／臨床パッケージ、グローバル
第3相試験への国内被験者組み入れ合意

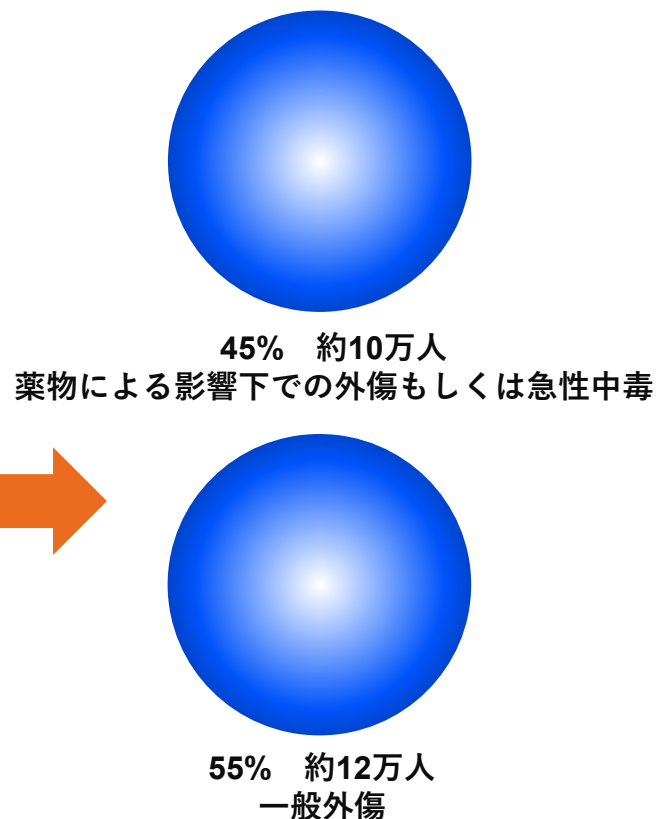




炎症・外傷



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。

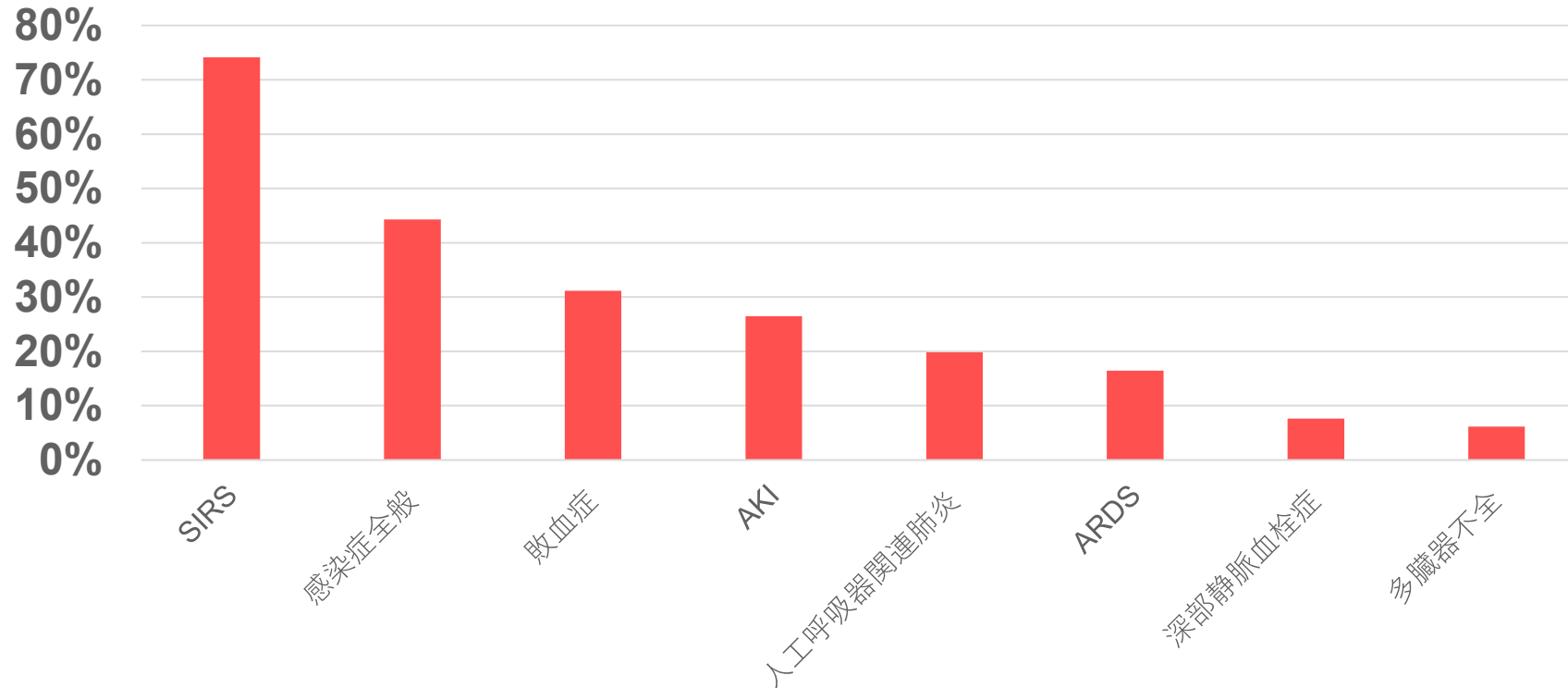
現在この状況に至った患者さんに対する有効な治療薬は無く、それぞれの症状に対して対処療法を行うのみです。

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。

PROPPR（Prospective Randomized Optimal Plasma and Platelet Ratios）試験*によると、
血液製剤投与30日後、680人の患者登録において、2,165件の合併症が報告され、1人あたり平均**3.2件**発症

SIRS（全身性炎症反応症候群）：70%以上、AKI（急性腎不全）：25%以上の発症



* 大量輸血が必要な重度の外傷患者における血液製剤（赤血球、血漿、血小板の比率）を評価するための臨床試験

JAMA. 2015 February 3; 313(5): 471–482. doi:10.1001/jama.2015.12.

“Transfusion of Plasma, Platelets, and Red Blood Cells in a 1:1:1 vs a 1:1:2 Ratio and Mortality in Patients With Severe Trauma: The PROPPR Randomized Clinical Trial”

欧米において実施されたARDS患者に対する第1 / 2相臨床試験（治験名：MUST-ARDS 試験*1）より

重度の腎機能障害を併発していた患者を抽出したサブグループ解析結果

プラセボ投与群と比較し、HLCM051投与群において腎機能の大きな改善傾向を確認

投与28日後のHLCM051投与群とプラセボ投与群との結果比較

	AKI*2または腎機能低下 (CC*3<80)	投与28日後：AKI離脱または腎機能回復 (CC≥80)	改善率
HLCM051	13名	8名	61.5%
プラセボ	7名	1名	14.3%

* 1:本試験は腎機能障害に対する有効性評価を目的として設計されたものではありません

* 2:急性腎障害（AKI）：腎機能が急激に低下し、老廃物排出や水分・電解質バランスの維持が困難になる病態

* 3:クレアチニークリアランス(CC): 1分間における血中クレアチニン浄化機能を示す腎機能に関する一般的な指標

| 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***
- HLCM051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：Centers for Disease Control and Prevention

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HLCM051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



培養上清

培養上清の出荷及び売上計上

- **AND medical**社との共同研究を速やかに完了し最終マイルストーン6,000万円を受領する（契約総額1億 8,000 万円）
- その後、供給契約（初回発注分として4億 2,000 万円相当の対象製品を受注）に基づく個別の発注について**AND medical** 社と協議する
- 再春館製薬所（**2025**年 8 月に試料提供契約締結）他、協議を進めている見込顧客への供給具体化を図る

ベースコスト（事業オペレーション）

グローバル第三相試験コスト

日本向け（HLCM051）製造委託および自社製造

*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
自社製造は、経済産業省からの補助金を活用

ワラント行使

培地・化粧品材料 提供先拡大・売上


発注受付開始 出荷開始

単月黒字化予定

ARDS（日本）売上

ARDS(国外)提携

4Q 2025 1Q 2026 2Q 2026 3Q 2026 4Q 2026 1Q 2027 2Q 2027 3Q 2027 4Q 2027 1Q 2028 2Q 2028 3Q 2028 4Q 2028



決算概況

前年同期比で研究開発費は0.6億円増加し、当期利益は▲41.5億円となりました。

（単位：百万円）

	2024年12月期 第3四半期	2025年12月期第3四半期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上収益	542	79	-464	
営業利益	▲1,976	▲2,333	-357	販売費及び一般管理費の減少 +206 研究開発費の増加 ▲59
当期利益	▲4,475	▲4,146	329	金融収益の増加 +337 金融費用の減少 +389 （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	1,474	1,533	59	
当社従業員数 （社員のみ）	58名	60名	2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3四半期決算短信 P9をご参照ください。

金融収益・金融費用の内容

当第3四半期連結累計期間において、金融収益**767**百万円、及び金融費用**2,568**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 **676**百万円、有価証券評価益**54**百万円及び受取利息**37**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 **2,495**百万円、社債利息**24**百万円、支払利息**20**百万円、及び新株予約権発行費**17**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**337**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**285**百万円、及び有価証券評価益の増加**54**百万円となります。金融費用の前年同期比の減少額は**389**百万円であり、主な内訳は有価証券評価損の減少**181**百万円、デリバティブ評価損※²の減少**97**百万円、社債利息の減少**49**百万円、及び為替差損の減少**39**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ミテッド・パートナーシップです。

※2 デリバティブ評価損：当社が発行しました第**21**回新株予約権、第**22**回新株予約権及び第**26**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、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。

2025年 9 月末の流動資産は72億円（前期末比：+29億円）となり、資産合計は173億円となりました。

(単位：百万円 / 下段：構成比)

		2024年12月期末	2025年12月期第 3 四半期末		
				前年増減額	主な増減要因
	流動資産	4,275 (30.1%)	7,171 (41.4%)	2,895	現金及び現金同等物の増加 +2,825 (現金及び現金同等物の残高 6,498)
	非流動資産	9,916 (69.9%)	10,156 (58.6%)	240	その他の金融資産の増加 +291
	資産合計	14,191 (100.0%)	17,327 (100.0%)	3,135	
	流動負債	3,350 (23.6%)	5,422 (31.3%)	2,073	その他金融負債の増加 +2,472
	非流動負債	8,758 (61.7%)	8,949 (51.6%)	191	Saiseiファンドにおける外部投資家持分の増加 +167
	負債合計	12,108 (85.3%)	14,371 (82.9%)	2,263	
資本合計		2,084 (14.7%)	2,955 (17.1%)	872	当期利益の計上 ▲4,146 新株の発行 +4,986
負債及び資本合計		14,191 (100.0%)	17,327 (100.0%)	3,135	

(注) 財務数値の詳細につきましては、本日公表している第 3 四半期決算短信 P7-8をご参照ください。

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	1,998百万円（2025年6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	58名(2025年6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	株式会社サイレジェン（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）

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広報部

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