



# Healios

2015年12月期 決算及びR&D説明会

**「生きる」を増やす。  
爆発的に。**

# ハイライト：第3四半期決算以降のアップデート

## iPSC 再生 医薬品

国内RPE



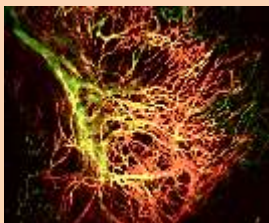
共同開発の国内パートナーである大日本住友製薬株式会社から、再生医療に使用可能なiPS細胞マスターセルバンクを受領。

海外RPE



アライアンスパートナーの候補の検討、および受託製造会社へRPE細胞への分化誘導方法に関わる技術移管を完了。

3次元臓器  
(肝臓)



横浜市立大学の産学連携ラボに入居し、同大学との共同研究を推進。臓器原基作製の原料として、大量培養可能な間葉系幹細胞 (MultiStem®) の利用検討を開始。

## 体性 幹細胞 再生 医薬品

MultiStem®



### 米国Athersys社とライセンス契約締結

iPSC再生医薬品分野をより加速させる新規シーズとして、幹細胞MultiStem®を用いた脳梗塞治療薬開発をパイプライン化。

## 化合物

BBG



眼科手術補助剤の販売が、新たにブラジル連邦共和国において承認され、74の国と地域での承認取得。

注)RPE:網膜色素上皮細胞

1	決算概況	P4
2	会社概要	P7
3	iPSC再生医薬品分野の詳細	P14
4	3次元臓器（肝臓）への展開	P32
5	脳梗塞治療のパイプライン化	P42
6	ニュースフロー	P54

# 1. 決算概況

---

(単位：百万円)

	2014年12月期	2015年12月期		
			前年比増減額	増減要因
売上高	279	98	▲181	前期にRPE細胞製品に係るマイルストーン収入200 を計上した反動
営業利益	▲568	▲1,060	▲492	研究開発費増加 ▲302 売上高減少 ▲211
経常利益	▲470	▲987	▲517	-
当期利益	▲477	▲958	▲481	-
研究開発費	327	629	+302	開発体制（人材採用）の強化、 研究開発の推進
のれん償却費	100	100	-	-
従業員数 (社員のみ)	37	44	+7	-

(単位：百万円 / 下段：構成比)

		2014年12月期末	2015年12月期末		
				前年増減額	主な増減要因
流動資産	流動資産	2,064 (65.1%)	9,325 (88.9%)	+7,261	現金及び預金 +7,248
	固定資産	1,107 (34.9%)	1,162 (11.1%)	+55	
資産合計		3,171 (100.0%)	10,487 (100.0%)	+7,316	
流動負債	流動負債	475 (15.0%)	1,080 (10.3%)	+605	
	固定負債	31 (1.0%)	29 (0.3%)	△2	
負債合計		507 (16.0%)	1,100 (10.6%)	+603	
純資産合計		2,664 (84.0%)	9,377 (89.4%)	+6,713	資本金 +3,846 資本剰余金 +3,846 利益剰余金 ▲958
負債・純資産合計		3,171 (100.0%)	10,487 (100.0%)	+7,316	

## 2. 会社概要

---



## 会社概要

社名	株式会社ヘリオス（東証マザーズ 証券コード：4593）
代表者	代表取締役社長 鍵本 忠尚
本社	東京都港区浜松町2-4-1 世界貿易センタービル15階
資本金	53億80百万円(2015年12月末時点)
従業員数	44名(2015年12月末現在)
研究所	神戸研究所、横浜研究所
関連会社	株式会社サイレジエン（大日本住友製薬との合併会社）

## 起業への想い

- **加齢黄斑変性治療法確立を初心に起業**し、難治性疾患に治療法を与えることができる製薬会社を作り上げることを決意。
- アキュメンバイオファーマを設立（後にヘリオスに事業譲渡）し、BBG250の治験を行って、DORC社（蘭）と契約を結び、**欧州で発売を開始**。
- その実績を高橋政代氏を擁する理化学研究所に評価頂き、加齢黄斑変性の根治治療となり得る**iPS細胞の製品化第一号**を目指し、網膜色素上皮細胞の実用化を担うことになった。

## 日・米・欧での開発に向けた万全の布陣を敷く

### 眼科のエキスパート



**代表取締役  
鍵本 忠尚**

- BBGの開発に成功し、欧州等での販売を実現

### 加齢黄斑変性のエキスパート



**取締役 開発領域管掌  
アル・リーブス**

- ルセンティスをノバルティスにてグローバル開発（責任者）（米国を除く）

### 免疫抑制剤開発のエキスパート



**取締役 神戸研究所長  
田村 康一**

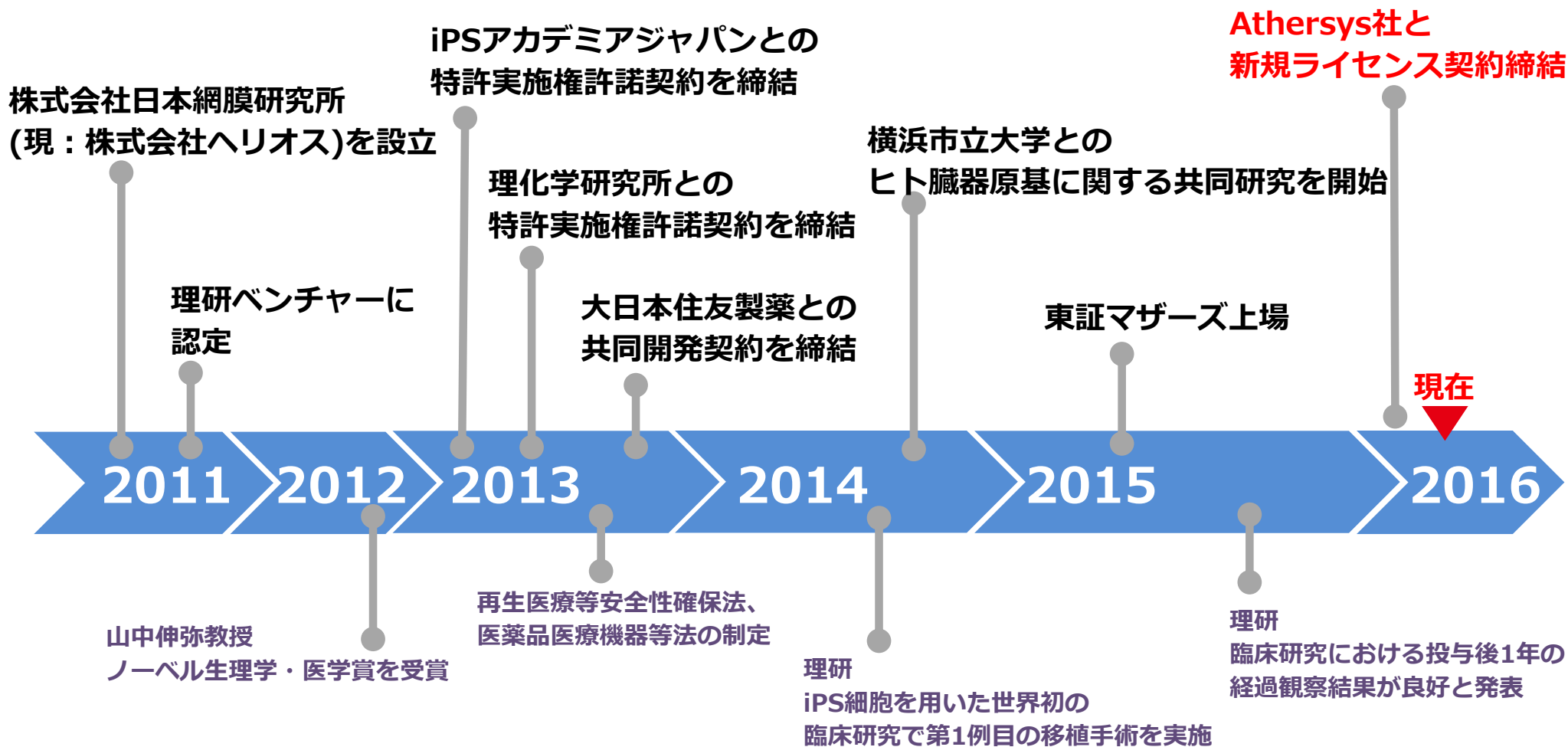
- アステラス米国研究所長
- 免疫抑制研究に精通

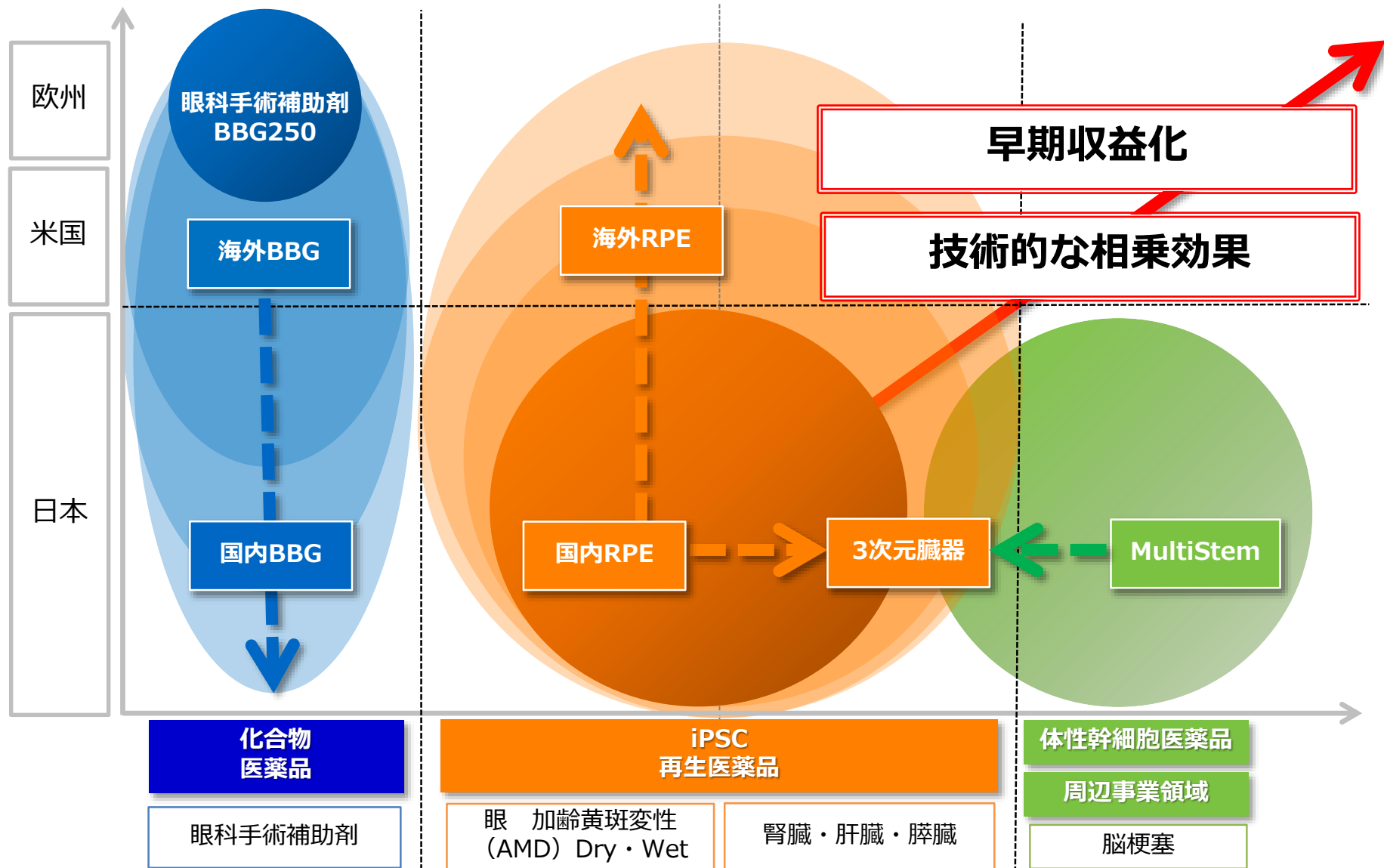


**取締役  
西山 道久**

- アステラスにて米国・欧州でタクロリムス承認取得・販売網の構築

iPSC再生医薬品開発のパイオニア企業





注) 円の大きさは市場規模を表すものではありません。

体性  
幹細胞  
再生  
医薬品

MultiStem

脳梗塞分野におけるMultiStemを用いた臨床試験を早期に着手する。また、3次元臓器の臓器原基作製の原料として、利用可能性を検討し技術的な相乗効果を図る。

iPSC  
再生  
医薬品

国内RPE

2017年の臨床試験開始に向けた研究開発活動の実施。特に製造委託先であるサイレジェン社（当社と大日本住友製薬の合併会社）における製造準備に注力。

海外RPE

製造委託先における製造工程の最適化を実施。並行し他社とのアライアンスを積極的に検討する。

3次元臓器  
(肝臓)

横浜市立大学が進める臨床研究を共同で進めるとともに、代謝性肝疾患を適応症とし、パイプライン化。並行し他社とのアライアンスを積極的に検討する。

周辺  
事業  
領域

新規  
シーズ

iPSC再生医薬品分野をより加速させることが可能な新規シーズの獲得も検討

選定  
基準

iPSC再生医薬品分野との  
技術的な相乗効果

既存人材リソースの  
有効活用が可能

早期の承認取得・  
収益化

化合物

BBG

販売国の拡大に加え、日本国内での承認申請を進める。

事業分野	開発コード	適応症	市場	前臨床試験	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請～承認	上市	進捗状況		
体性幹細胞再生 医薬品分野	HLCM051	脳梗塞	日本	→						早期に臨床試験に着手予定		
iPSC再生 医薬品分野	HLCR011	Wet AMD	日本	→						前臨床試験実施中		
	HLCL041	代謝性肝疾患	日本	→						横浜市立大学と共同研究		
	HLCR012	Dry AMD	米国	→						製造のための技術移管を完了		
	HLCR012	Dry AMD	欧州	→						米国第III相試験からのグローバル治験を検討中		
化合物 医薬品分野	HLM0021	硝子体手術	日本	→							わかもと製薬にて開発中	
	HLM0021	白内障手術	日本	→							ライセンス先決定後、速やかに開発を進める	
	HLM0022	内境界膜剥離	欧州	→								販売中
	HLM0023	内境界膜剥離	米国	→							D.O.R.C.社にて開発中	

注)Wet AMD: 滲出性加齢黄斑変性 Dry AMD: 萎縮型加齢黄斑変性

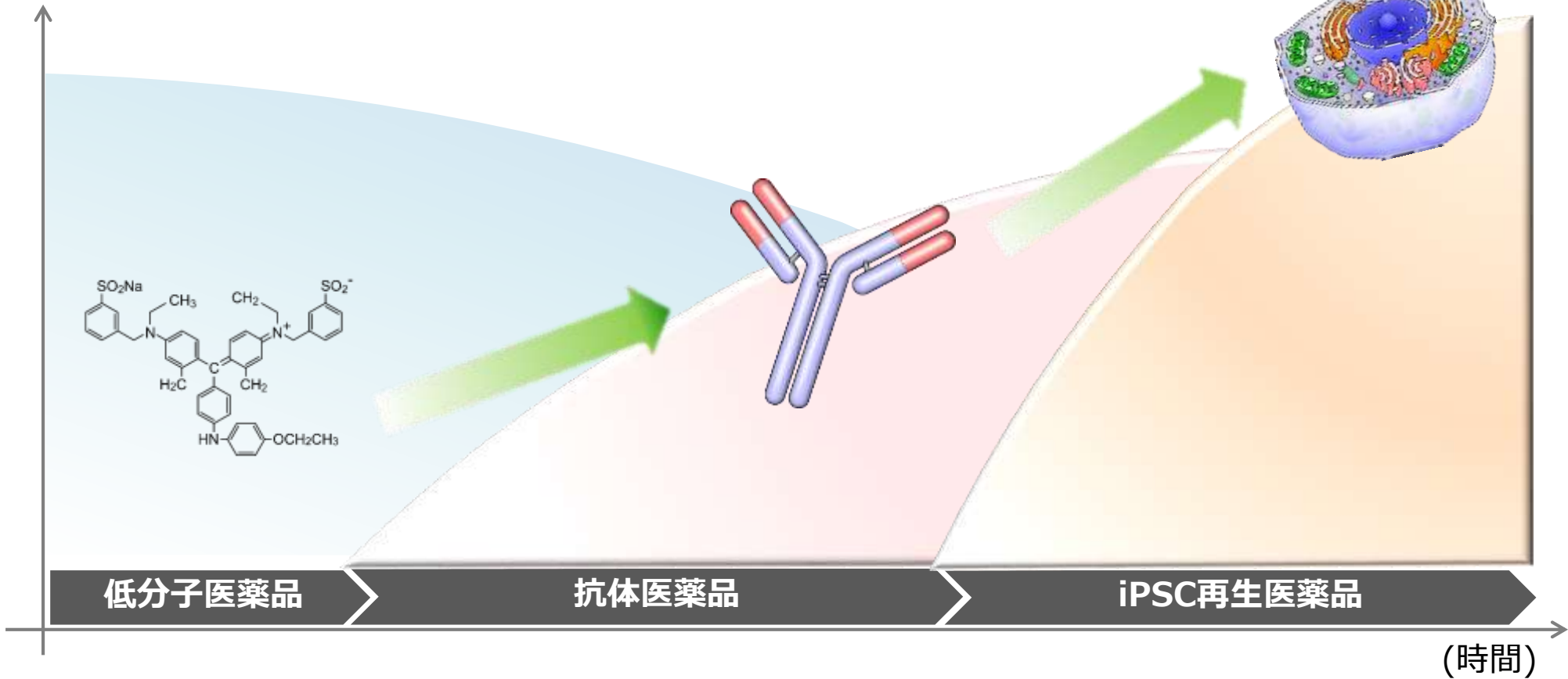
### 3. iPSC再生医薬品分野の詳細

---

- ▶ Step 1 疾患をiPS細胞で治療する
- Step 2 加齢黄斑変性と市場規模
- Step 3 RPE細胞医薬品の上市にむけたストラテジー

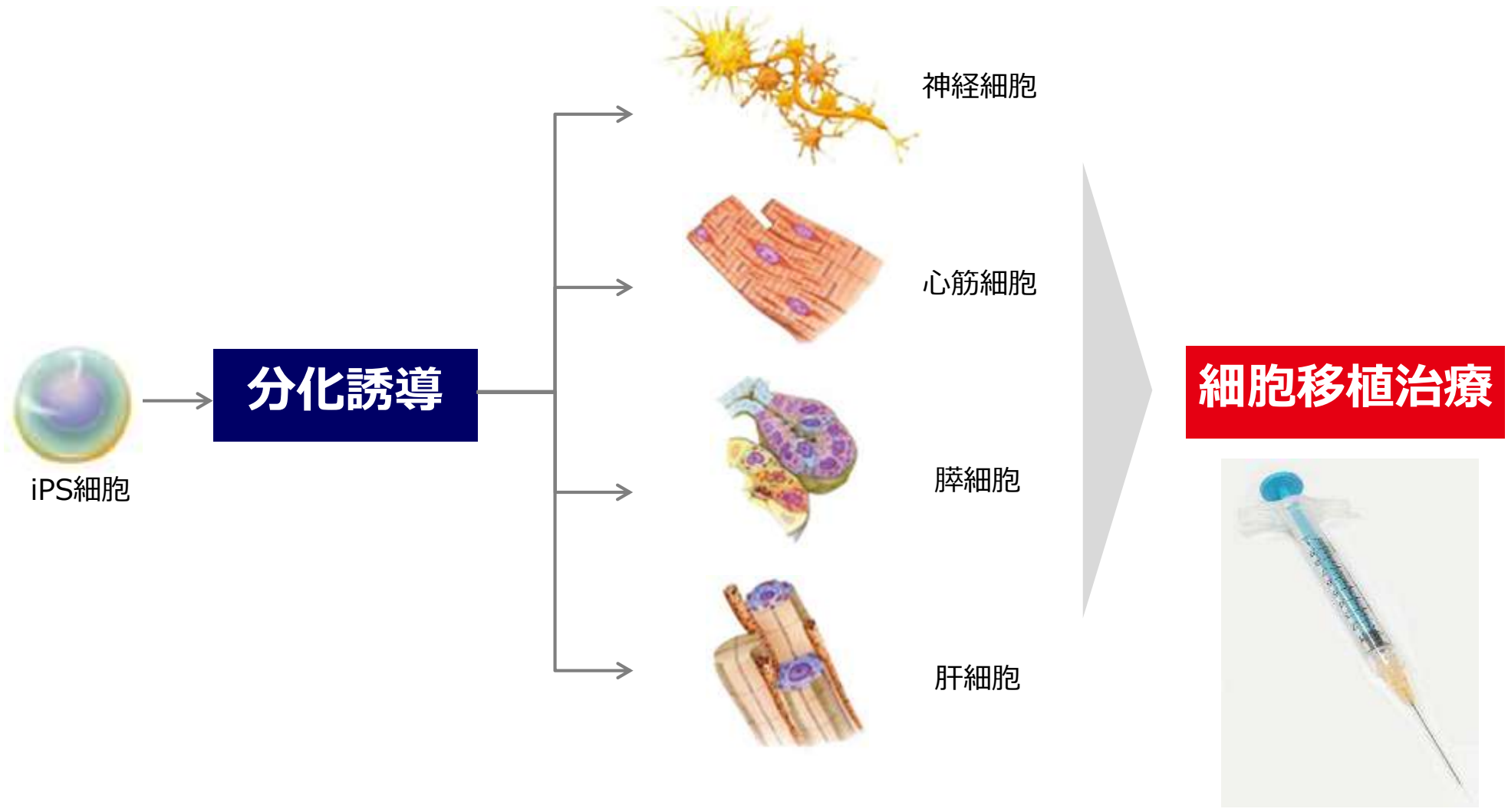
低分子医薬品から抗体医薬品、iPSC再生医薬品などへ技術開発が進む

(技術開発)



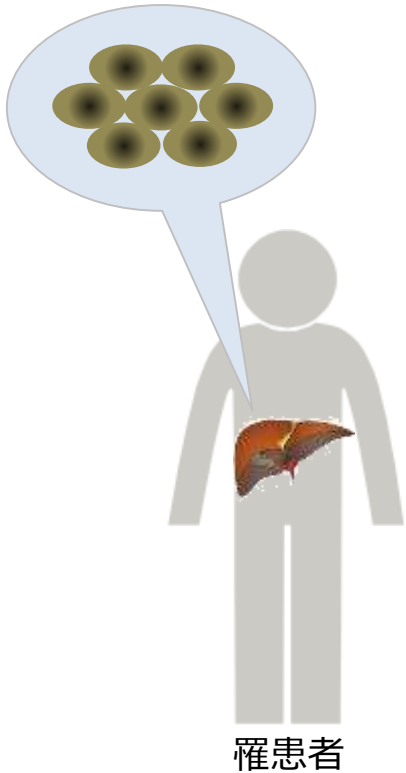


iPS細胞から「正常な細胞」を作り出す

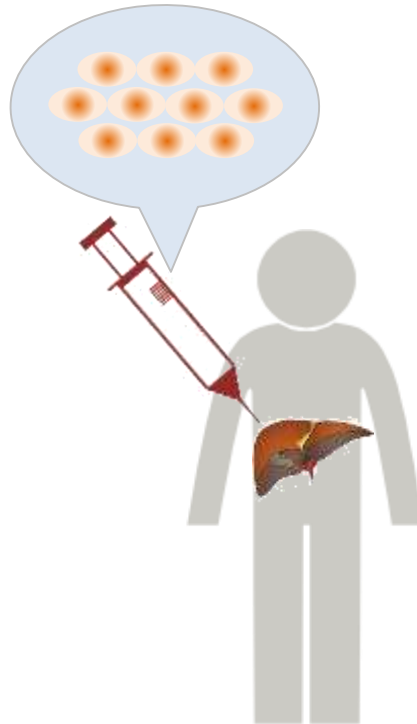


## 正常な細胞で、損傷した細胞を置き換える

老化や疾患、事故で  
損傷した組織（細胞）

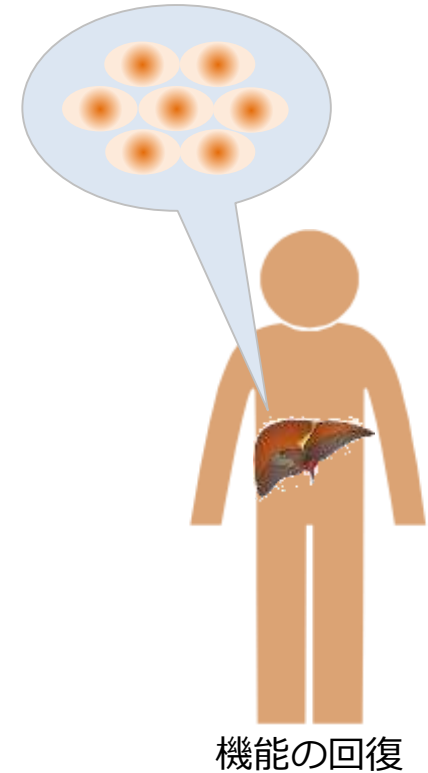


**iPSC再生医薬品**  
iPS細胞から作られた目的細胞



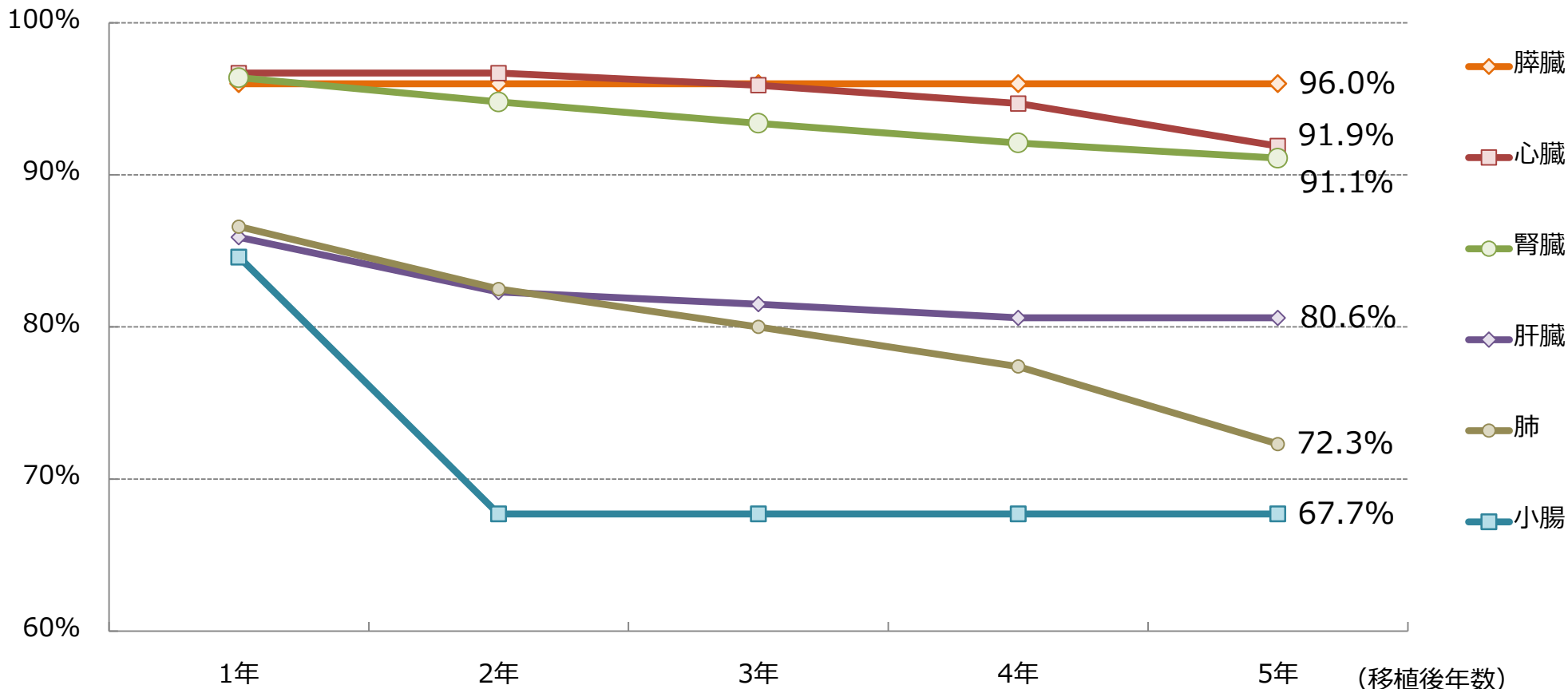
**置換**

損傷した組織（細胞）を  
iPSC再生医薬品で置き換える



## 技術革新が大きく進み成功確率は高い

移植後生存率（臓器別）



(注) 心臓、肺、肝臓、膵臓及び小腸の移植は、平成26年3月末日までに実施されたもの。腎臓の移植は平成25年12月末日までに実施されたもの。  
 (出所) 厚生労働省「臓器移植の実施状況等に関する報告書」

### 3. iPSC再生医薬品分野の詳細

---

Step 1

疾患をiPS細胞で治療する

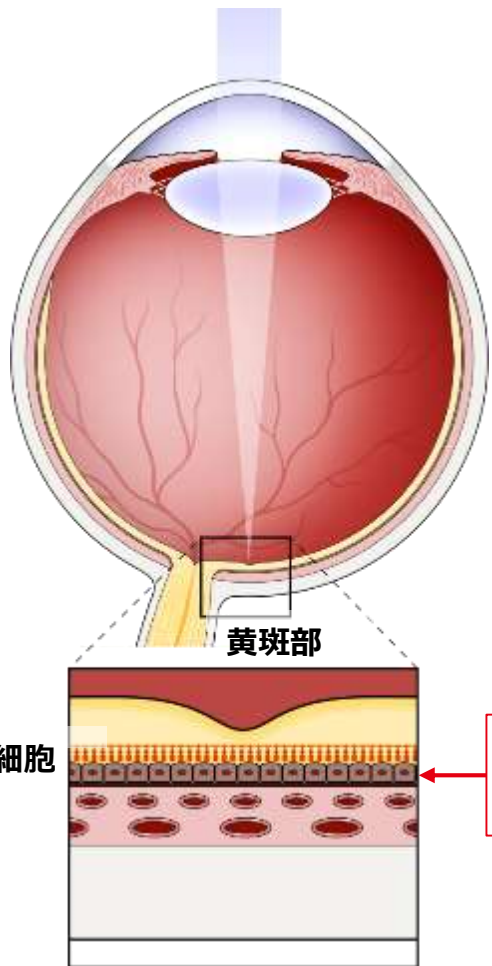
▶ Step 2

加齢黄斑変性と市場規模

Step 3

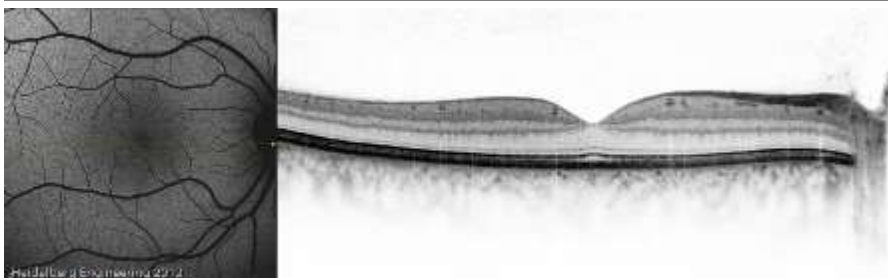
RPE細胞医薬品の上市にむけたストラテジー

## 加齢黄斑変性を発症すると網膜色素上皮細胞 (RPE) が変性し機能が損なわれる



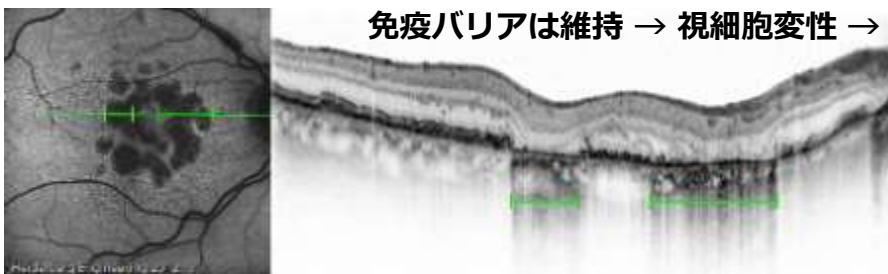
網膜色素上皮細胞 (RPE)

### 正常黄斑部



### 進行した萎縮型加齢黄斑変性 (Dry AMD)

免疫バリアは維持 → 視細胞変性 → dry AMD

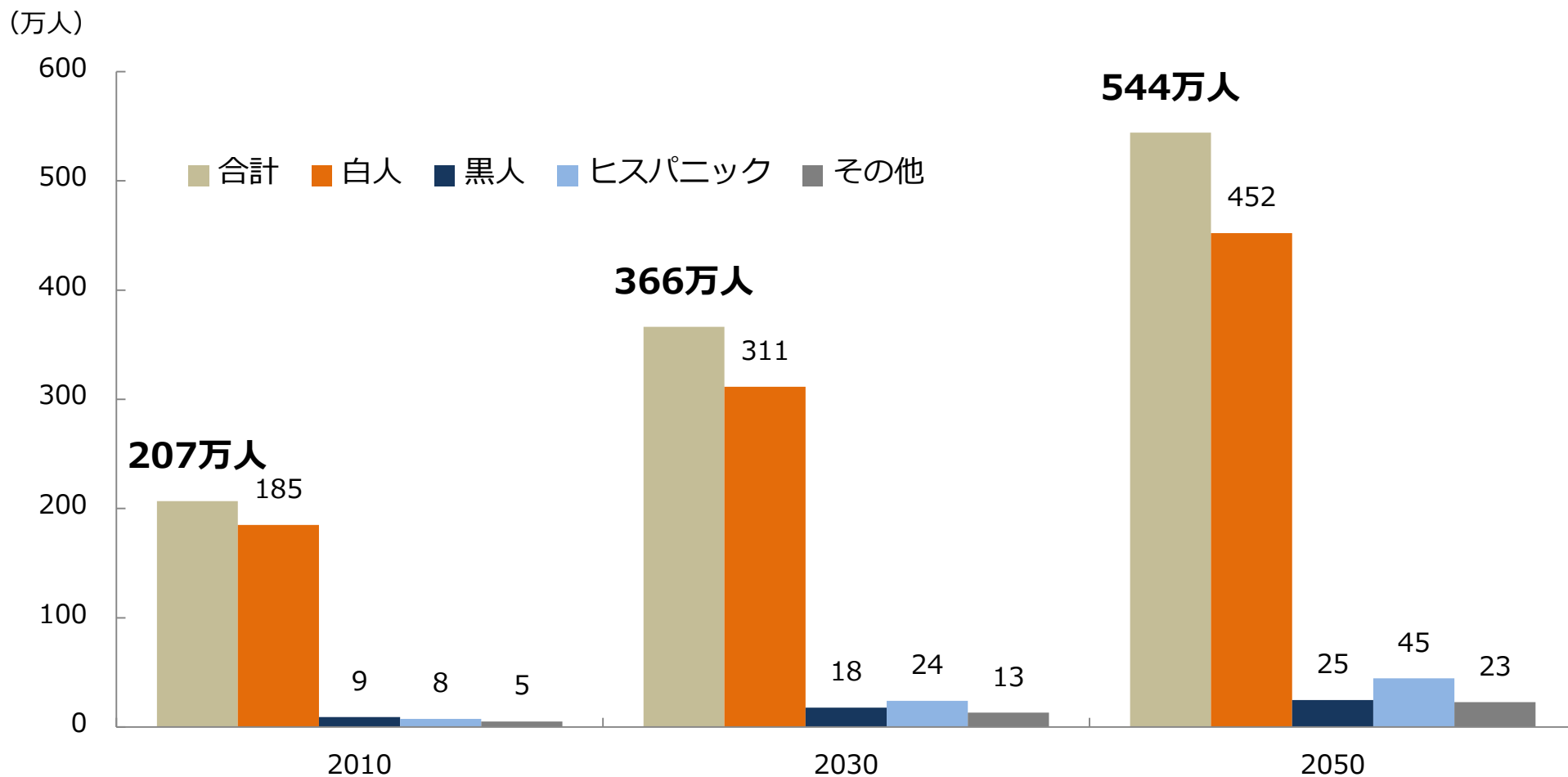


### 滲出型加齢黄斑変性 (Wet AMD)

免疫バリア破壊 → 免疫細胞侵入 → 炎症 → wet AMD




## Wet・Dryともに重度の罹患者数は非常に多い



(出所) 米国国立眼病研究所(National Eye Institute)

## Wet・Dryともに軽症罹患者も含め罹患者数は非常に多い

	米国 	日本 	欧州その他
AMD罹患者数	<b>1,000万人</b>	<b>923万人</b>	<b>1,300万人</b>
重度のAMD罹患者数	<b>200万人</b>	<b>69万人</b>	<b>260万人～322万人</b>
重症化したWet罹患者数	<b>100万人～150万人</b>	<b>63万人</b>	<b>130万人～195万人</b>
重症化したDry罹患者数	<b>85万人～90万人</b>	<b>6万人</b>	<b>110万人～117万人</b>



※日本国内の総患者数は、九州大学大学院医学研究科が福岡県で実施している久山町研究データ（常に40歳以上の住民の8割以上を検診するなど非常に徹底した調査に基づくことで知られる）に基づき、初期加齢黄斑症と後期加齢黄斑症（加齢黄斑変性）の発症率合計を人口統計データに乗じて算定している（2007）。また難病情報センターも同研究を受け、重度の後期加齢黄斑変性患者数は69万人と公表している。

米国の総患者数は米国国立眼科研究所が公表している軽度の加齢黄斑患者数と視野欠損を伴う患者数の合計値を掲載している。またDry/Wetは総患者数にAMDFが公表している発症率を総患者数に乗じて当社が算定した（2010）。

欧州の総患者データは論文データによるグレードごとの発症率に欧州人口統計を乗じて当社が算定。Wet/Dryは総患者データにAMDFの発症率を乗じて当社が算定した（2010）。

※出所論文：Prevalence of age-related maculopathy in older Europeans: the European Eye Study (EUREYE).Source: Arch Ophthalmol. 2006 Apr;124(4):529-35

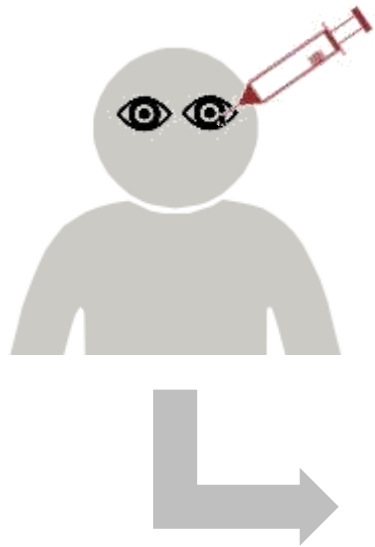
Wet治療薬の年間売上は8,316億円、Dryは治療薬不在

病態	治療薬/ 効能	年度	地域別売上			合計
			米国 	日本 	欧州その他	
滲出型 (Wet)	抗VEGF薬/ 新生血管の 抑制	2013	3,636億円	380億円	2,947億円	6,963億円
		2014	4,141億円	557億円	3,618億円	8,316億円
萎縮型 (Dry)			← 治療薬なし →			

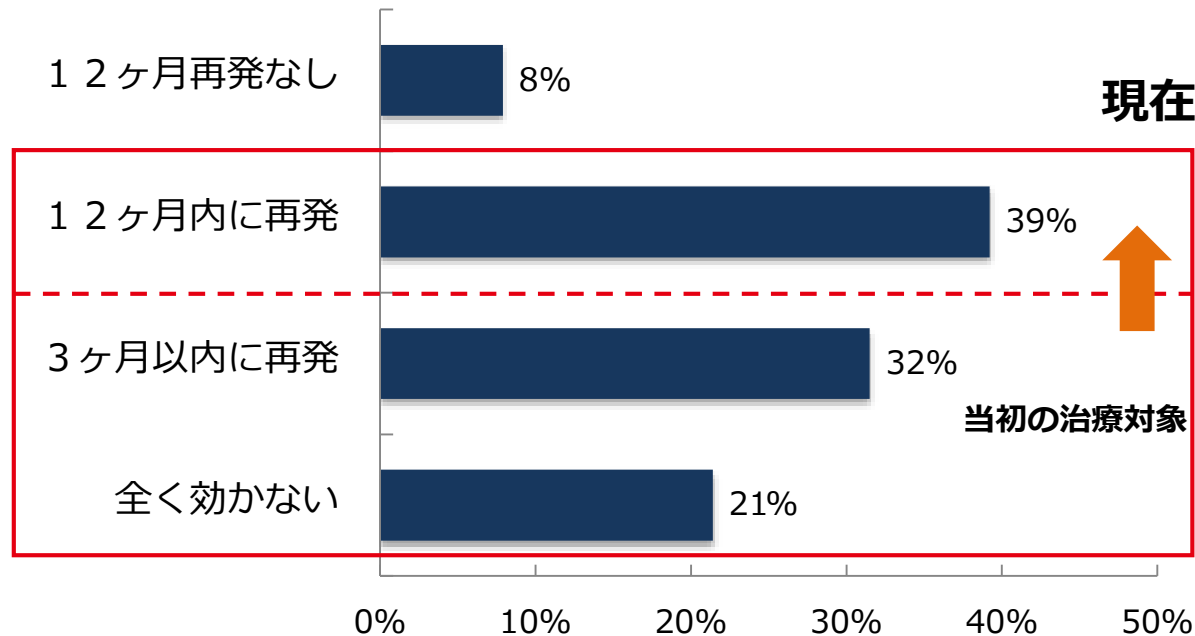
（出所）市場規模は製薬会社各社（Roche Diagnostic、Novartis、Regeneron、Bayer HealthCare、参天製薬）の公表資料より当社作成し適用拡大分を含む。為替レートは、2013年度末、2014年度末レートで換算。



## WetAMDの約92%を占める、1年以内に再発する罹患者層が治療対象候補



抗VEGF薬投与後の再発頻度



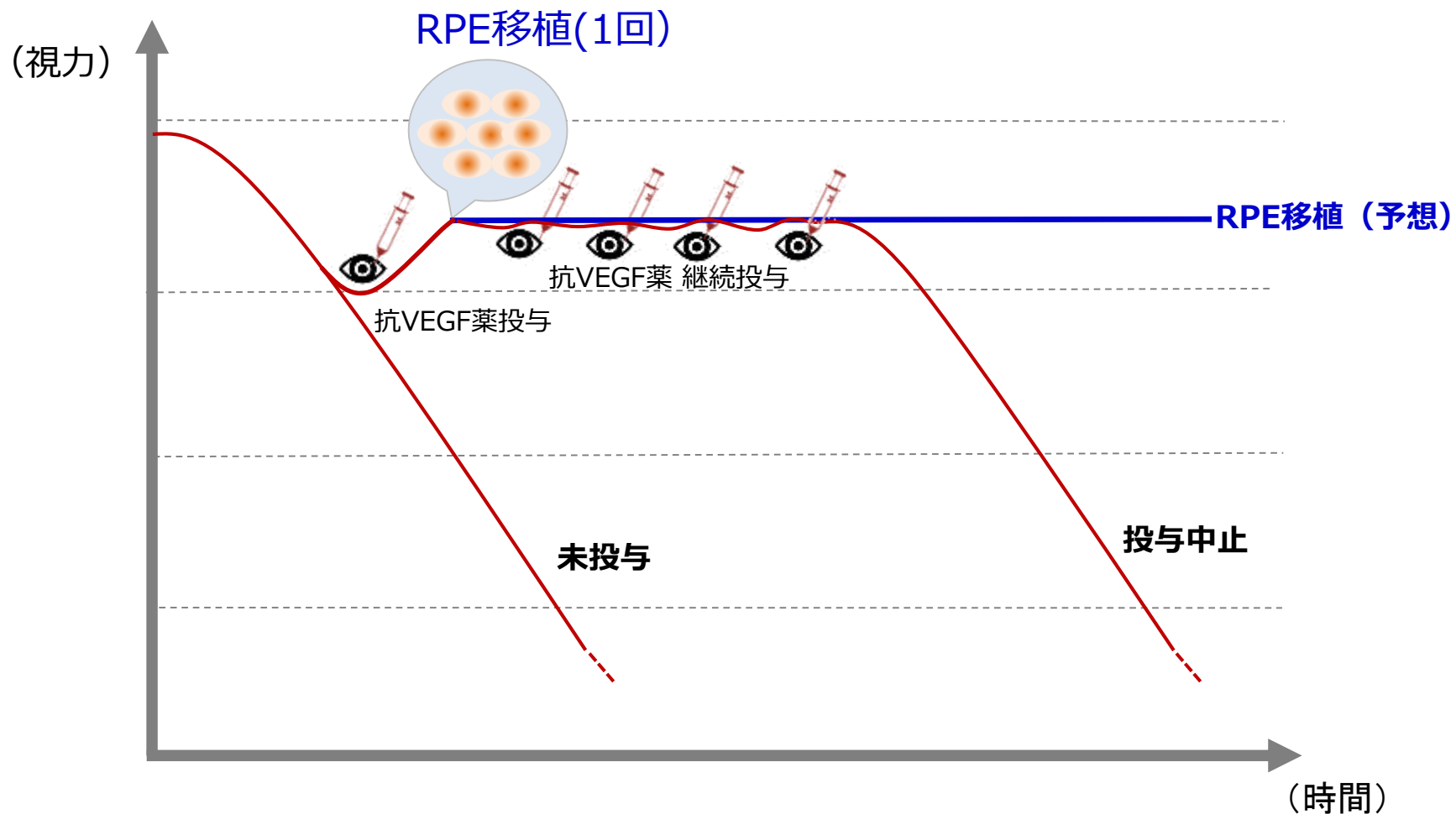
現在の治療対象候補  
約92%

当初の治療対象

投与継続罹患者のQOLは高くない

(出所)第13回 日本再生医療学会 3月19日(木) 12:00~12:50  
iPS細胞の臨床応用に向けてのアプローチ 理化学研究所 万代 道子

早期治療を行うことで、より高い視力を維持できる



※本イメージはRPE移植の効果イメージを理解頂くことを目的としています。

抗VEGF薬投与による視力推移イメージは、各患者の症状や投与頻度等により上記と一律に同じではありません。

## 抗VEGF薬は多くの場合、継続治療が必要

### 年間医療費

抗VEGF薬の単価  
**17万円**

×

年間投与推奨プロトコル  
**6回**

=

年間治療費  
**102万円**

### 生涯医療費の推定

平均寿命（日本）：80歳（男） / 86歳（女）を前提とした場合・・・

生涯医療費推定

50歳発症患者の治療継続期間 = 約**30年**

×

**102万円**

=

**約3,000万円**

60歳発症患者の治療継続期間 = 約**20年**

×

**102万円**

=

**約2,000万円**

### 3. iPSC再生医薬品分野の詳細

---

Step 1

疾患をiPS細胞で治療する

Step 2

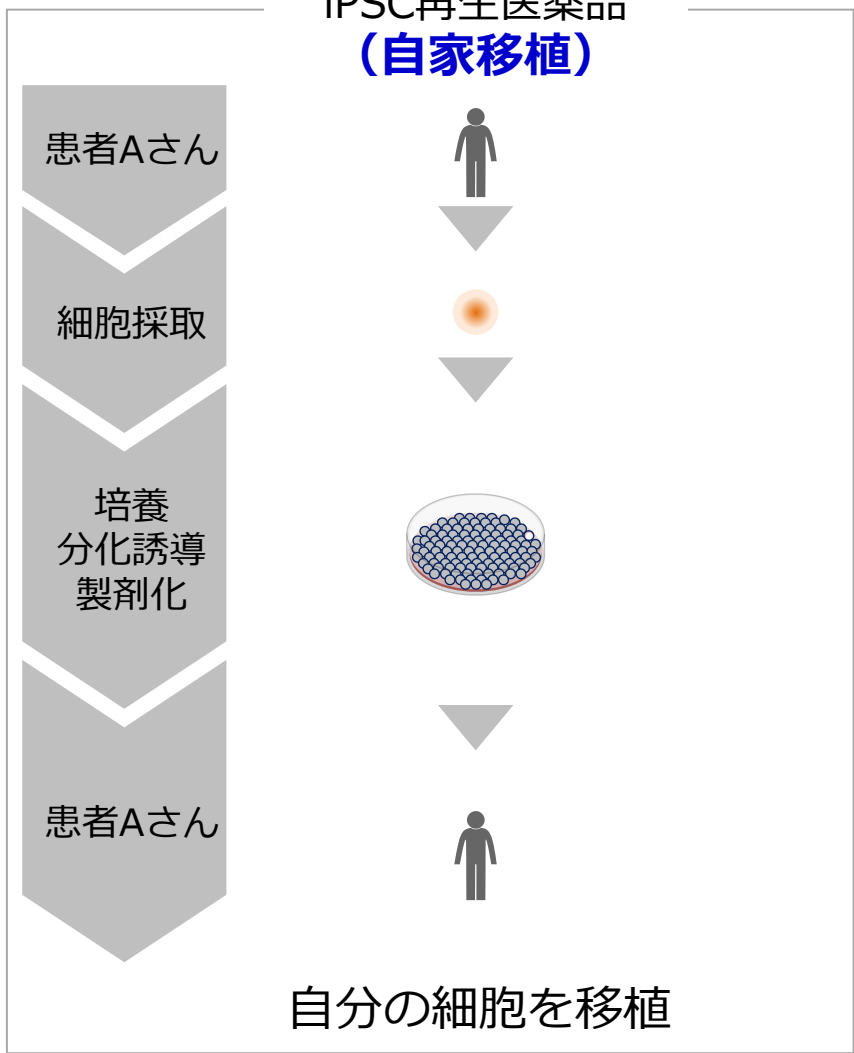
加齢黄斑変性と市場規模

▶ Step 3

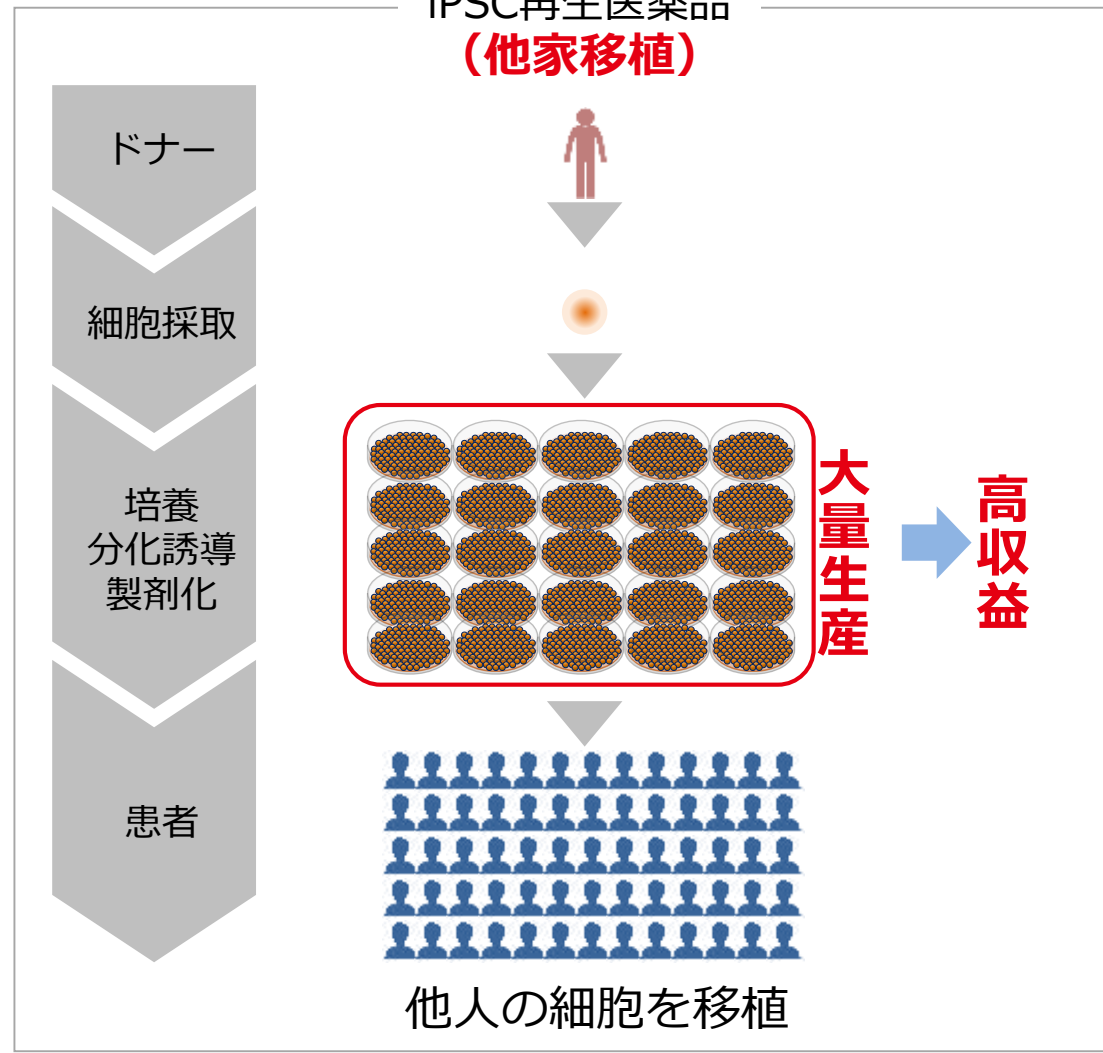
RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

当社は収益性の高い他家再生医療を手がける

iPSC再生医薬品  
(自家移植)



iPSC再生医薬品  
(他家移植)



大日本住友製薬との提携により国内バリューチェーンは整った

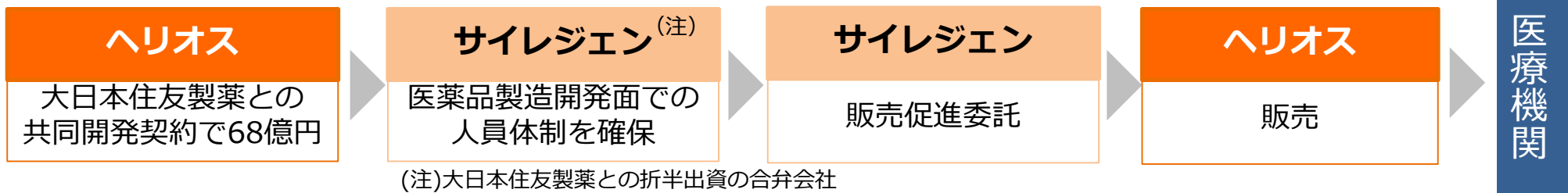
開発

製造

マーケティング

販売

● 国内での開発・販売・製造体制は確立の目途がたった



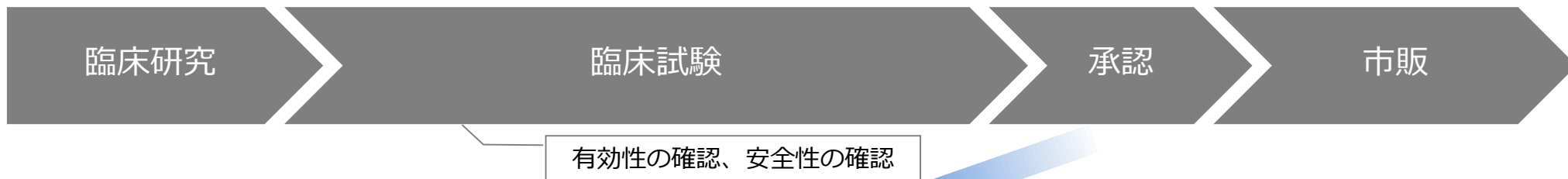
アライアンスを構築し、欧米市場を戦略的に開拓してゆく



(注) POC : Proof of Conceptの略で、ここでは主として有効性の裏付けとなるデータ等を得ることを意味します。

## 再生医療等製品に特化した新制度導入

### これまでの開発プロセス



### 早期承認制度を導入した開発プロセス



- 早期承認制度では治験期間・症例数（数十症例程度）は**大幅に減少**
- 早期承認時から**保険収載**される

2015年11月26日、再生医療等製品の保険収載

製品名	テムセル®HS注	ハートシート
会社名	JCRファーマ株式会社	テルモ株式会社
適応症	造血幹細胞移植後の急性GVHD	虚血性心疾患による重症心不全
薬価	1クール 約1,390万円	1治療あたり1,476万円
備考	国内初、他家由来再生医療等製品の本承認	早期承認制度導入後初の条件及び期限付承認

薬価算定方法の見込み

原価計算方式

※新薬の薬価は、類似の薬効を有する既収載品目の薬価に合わせて算定（類似薬効比較方式）が原則とされているが、既収載品目の中に適切な類似薬がない場合には、必要経費の積み上げに基づく薬価算定（原価計算方式）が行われる。



## 4. 3次元臓器（肝臓）への展開

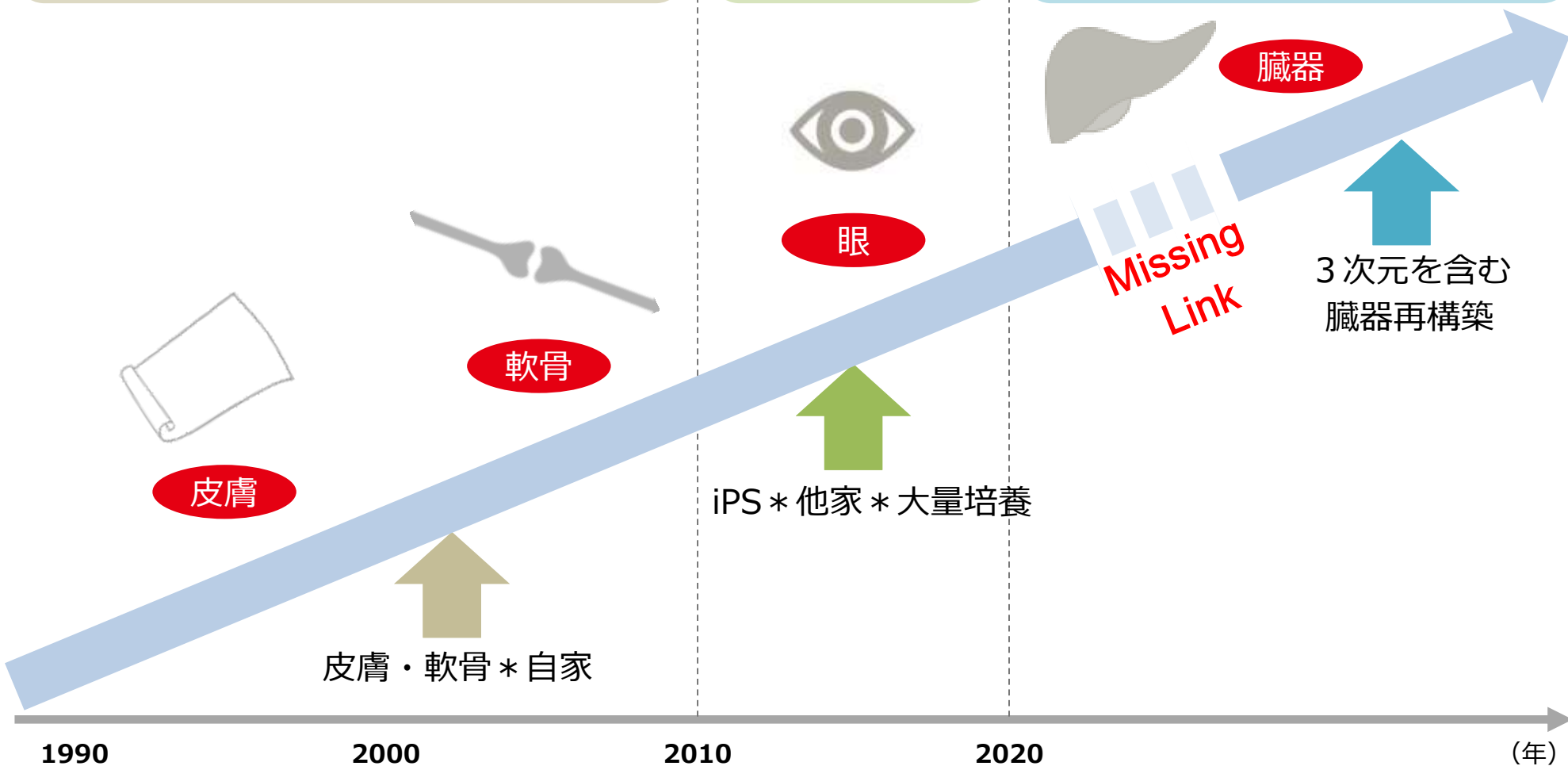
---

## 3次元臓器の構築が可能になれば市場はさらに拡大

黎明期

萌芽期

成長期



## 横浜市立大学大学院医学研究科 臓器再生医学の共同研究契約

### 臓器再生の第一人者



#### 横浜市立大学大学院医学研究科 谷口英樹教授

1995年 筑波大学大学院医学研究科を卒業  
筑波大学附属病院に勤務  
2002年 横浜市立大学医学部教授  
2003年-2008年 理化学研究所  
発生・再生科学総合研究センター  
研究ユニットリーダー(併任)  
2003年-現在 同大学大学院医学研究科  
臓器再生医学教授(現職)

### ヒト臓器創出の気鋭の研究者



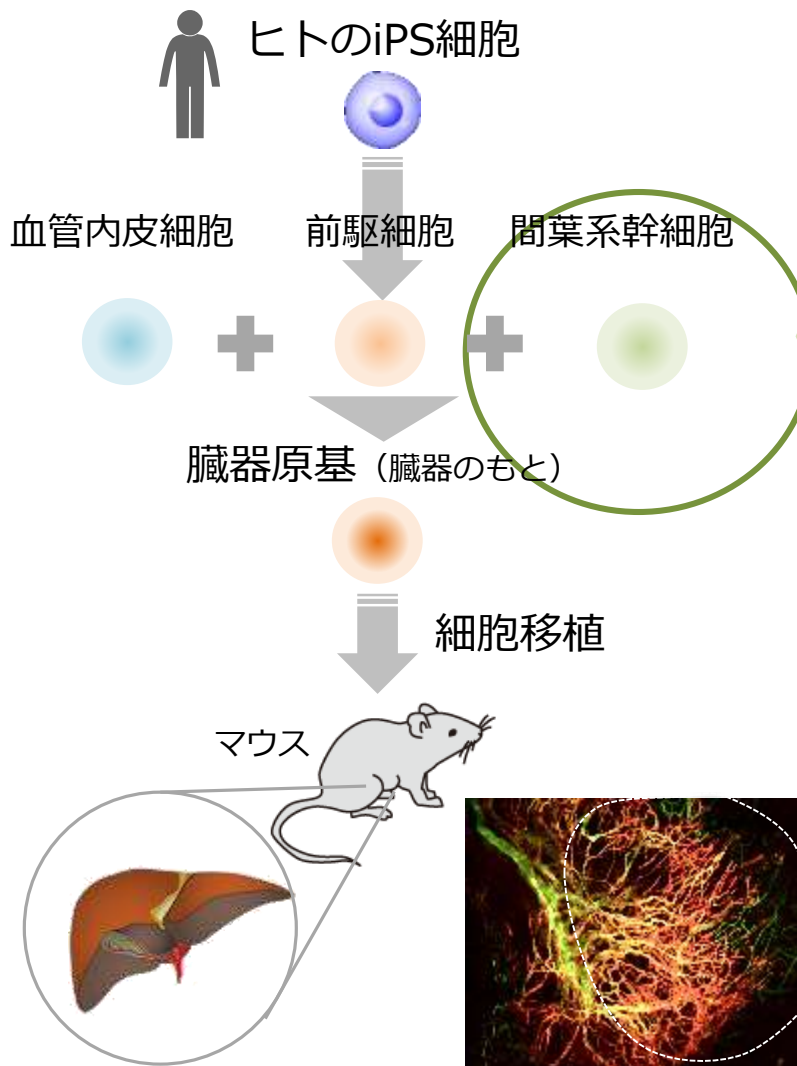
#### 横浜市立大学大学院医学研究科 武部貴則准教授

2009年 米スクリプス研究所(化学科) 研究員  
2011年 横浜市立大学医学部医学科を卒業  
同大学大学院助手  
臓器再生医学教室勤務  
2013年-現在 同大学大学院医学研究科  
臓器再生医学准教授(現職)  
2015年-現在 シンシナティー小児病院  
小児科消化器部門准教授(併任)

- 2013年7月 科学誌「Nature」掲載:**IPS細胞から血管構造を持つ機能的なヒト臓器創出に世界初の成功**
- 2013年12月 科学誌「Science」掲載:**「科学ブレークスルー・オブ・ザ・イヤー」(世界10大ニュース)に選出**
- 2014年度「ベルツ賞\*」受賞:**臓器再生医学 谷口英樹教授、武部貴則准教授の論文が選出**  
\*日本とドイツ両国の医学領域交流関係を深めていく目的で、ベーリンガーインゲルハイムが1964年に創設した伝統のある医学賞

(出所) 「横浜市立大学大学院医学研究科 臓器再生医学 HP」を参考にヘリオス作成  
<http://www-user.yokohama-cu.ac.jp/~saisei/index.html>

## 3種類の細胞の共培養により肝臓のもと（肝臓原基）の創出に成功



新規ライセンス締結をした  
MultiStemの利用可能性の検討

MultiStemの大量供給の検討



血管を持つヒトの肝臓に成長

(出所) Athersys社資料

72時間を短縮した映像

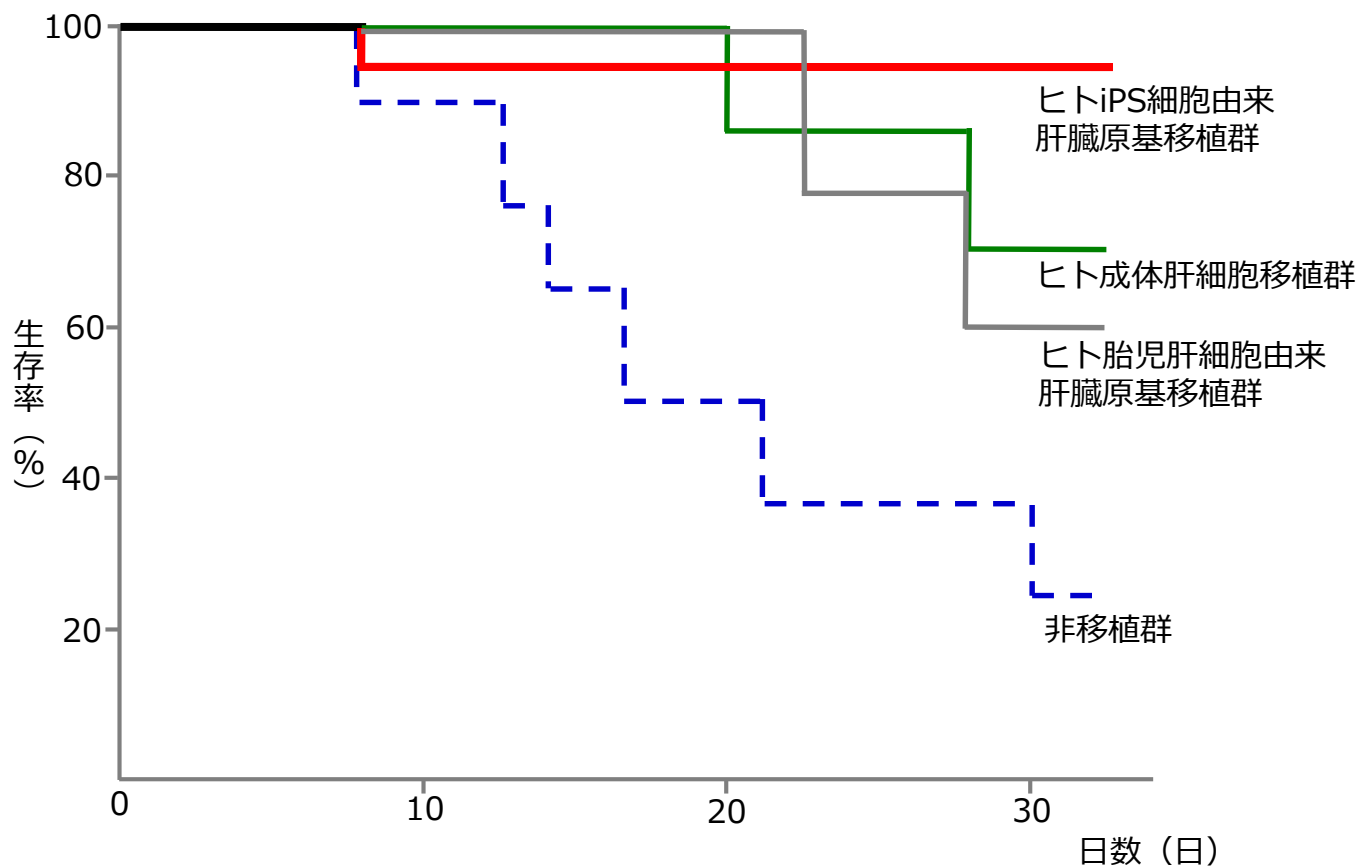


原基の形成過程

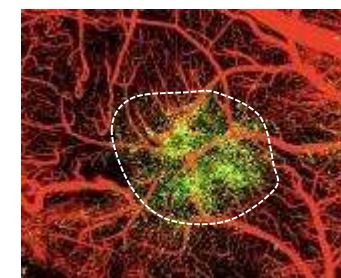
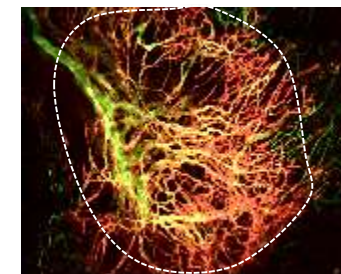
(出所) 科学技術振興機構  
サイエンスニュース「細胞から組織・臓器へ 再生医療の多様なアプローチ」(2013年10月3日配信)  
<https://sciencechannel.jst.go.jp/M130001/detail/M130001005.html>

## 移植実験では生存率が有意に改善～血管網の形成が鍵

### ヒトiPS細胞由来肝臓原基移植の治療効果



臓器原基から形成された臓器がマウスの血管網と自律的に繋がる過程



(出所) Takebe, T, et al. Nature, 499 (7459), (2013)を基にヘリオス作成

(出所) Takebe, T., et al. Nature Protocols, 9, 396-409 (2014)

## 横浜市立大学は2019年に臨床研究を開始予定

### ターゲット

代謝性肝疾患「尿素サイクル異常症など」

### 尿素サイクル異常症



肝臓においてアンモニアを解毒し尿素を産生する代謝経路（尿素サイクル）で働く酵素に、先天的な異常があることで発症する疾患

### 現在の治療法

現在、根治治療は肝臓移植しか存在しない。

※軽症例においても食事療法と薬物療法により、アンモニア値の低下を図る治療を生涯にわたり続ける必要がある。

新生児の代謝性肝疾患の推定市場規模

	米国 	日本 	欧州	合計
	患者数（年間）	約160人	約30人	約230人
治療費（年間） ：酵素補充療法	3,000万～5,000万円			
年間推定市場規模	50億 ～80億円	10億 ～15億円	60億 ～115億円	120億 ～210億円

\* 当社にて新生児数および発生率を基に、患者数・市場規模を推定



## 肝臓移植の代替治療に向けた研究開発を想定

	肝臓移植			合計
	米国 	日本 	欧州	
実施患者数(年)	約6,000人	約400人	約4,000人	約1万人
待機患者数(年)	約15,000人	約400人	約4,000人	約2万人

(出所) 「日本肝移植研究会」「UNOS」「Eurotransplan」「UK Transplant」  
「Agence de la biomédecine」「Scandia Transplant」公表資料を基にヘリオス作成

### 将来的な注目疾患は肝硬変

肝硬変の国内推定患者数：40～50万人、医療機関を受診している肝硬変患者数約56,000人、  
国内年間死亡者数約17,000人 (出所) 「平成23年患者調査」、「肝がん白書2015」

### 肝臓病の進み方



## 肝臓疾患に対する再生医療の早期実現を目指して

### 基盤技術の獲得 × 細胞大量培養技術 × アライアンス

- RPEと比べ大量の細胞製造が必要
- 間葉系幹細胞などのGMPグレードにおける大量培養技術
- Athersys社のMultiStemの検証

- ヒト臓器原基作製に関する全世界における独占的な特許実施許諾契約を締結
- 共同研究の着実な遂行

- 細胞供給パートナー
- 共同開発パートナー
- 販売パートナー

## 5. 脳梗塞治療のパイプライン化

---

ヘリオスと米国のバイオテクノロジー企業Athersys社は、Athersys社が特許権・特許実施許諾権を有する幹細胞製品MultiStemについて、国内における再生医療等製品に関する次のライセンス契約を締結しましたので、お知らせします。

① 幹細胞製品MultiStemを用いた脳梗塞に対する再生医療等製品の開発・販売に関する国内の独占的なライセンス契約

② 幹細胞製品MultiStemを、ヘリオスが公立大学法人横浜市立大学と共同研究開発している肝疾患領域を対象とした再生医療等製品（3次元臓器）の原料として研究・開発するライセンス契約

## 会社概要

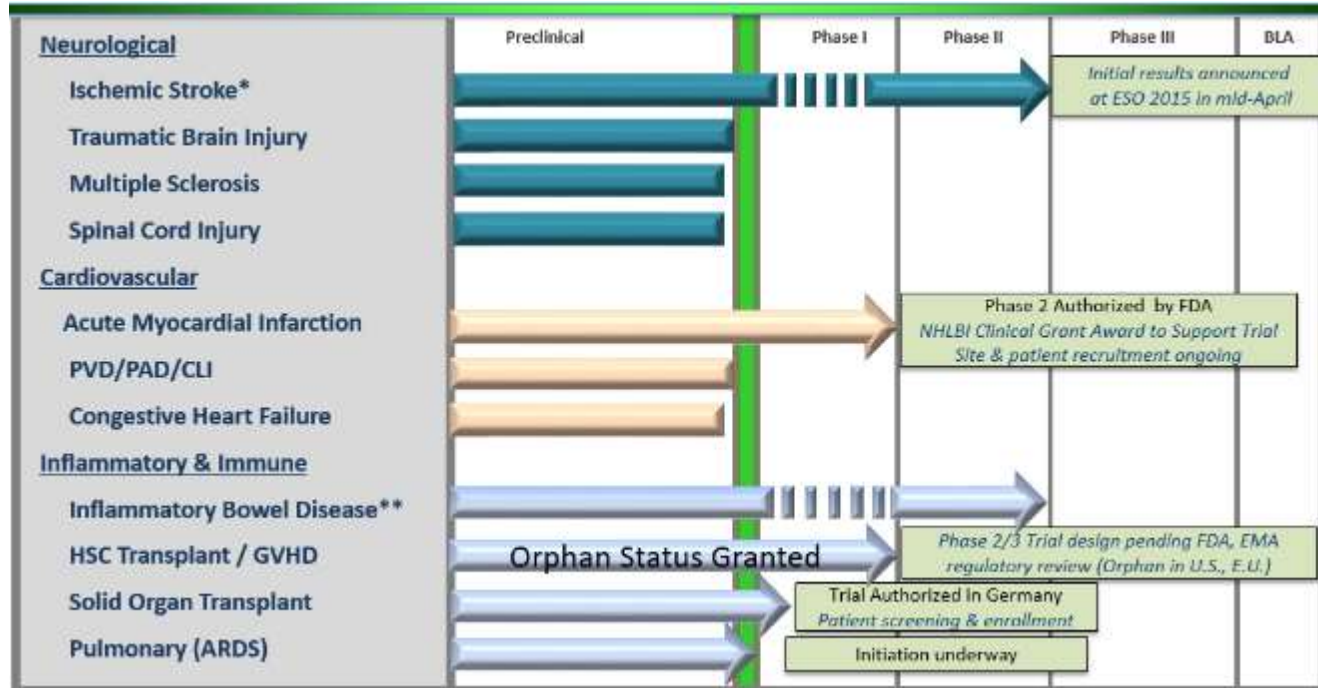
社名	Athersys, Inc. (NASDAQ:ATHX)
代表者	Gil Van Bokkelen, Ph.D. Chairman and CEO
本社	3201 Carnegie Avenue, Cleveland, Ohio
資本金	\$307million(2014年12月末時点)
従業員数	57名(2014年12月末時点)
研究所	Cleveland, Ohio (U.S.A.) and Leuven, Belgium (E.U.)
主な外部株主	Pappas Ventures, Sabby Management, The Vanguard Group, M&G IM



## 主な事業分野

### 幹細胞MultiStemを用いた細胞治療医薬品（開発中）

▼神経、心血管、炎症、免疫系の疾患領域を適応症として、6つの臨床試験を実施



(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

## 脳梗塞

脳に酸素と栄養を提供する動脈が閉塞、虚血症状にあり脳組織が壊死する病気。脳卒中には、脳出血と脳梗塞があり、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。

## 急性期における現在の治療法

血栓溶解療法や機械的血栓回収療法がある。ただし、これら治療法には脳出血のリスクがあり、適応時間にも制限がある。

(出所) 厚生労働省の患者調査および国民生活基礎調査



(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

## 急性期における現在の主な治療法

### 【医薬品を用いた治療】

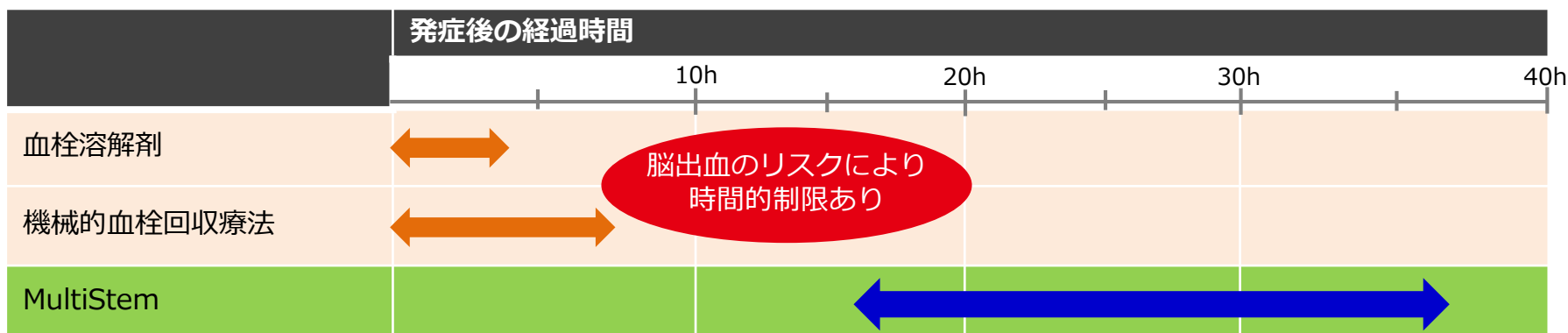
血栓溶解剤：脳の血管に詰まった血の塊を溶かす血栓溶解療法。発症から4時間半以内に可能。

### 【医療機器を用いた治療】

機械的血栓回収療法：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。  
発症から8時間以内に可能。

## 発症後経過時間に応じた治療

- 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



注) 本資料では、急性期脳梗塞に対する主だった治療法と、発症後の各治療可能時間を明示的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。

急性期の  
新たな選択肢となる

## 本製品の国内対象患者数は推定6.2万人

	日本 	備考
脳梗塞発症患者数（年）	<b>23万人～33万人</b>	脳梗塞の年間医療費 1兆707億円（平成21年度）
重度患者数 （主にアテローム血栓症と心原性塞栓症）	<b>13万人</b>	
36時間以内 到着患者数	<b>6.2万人</b>	

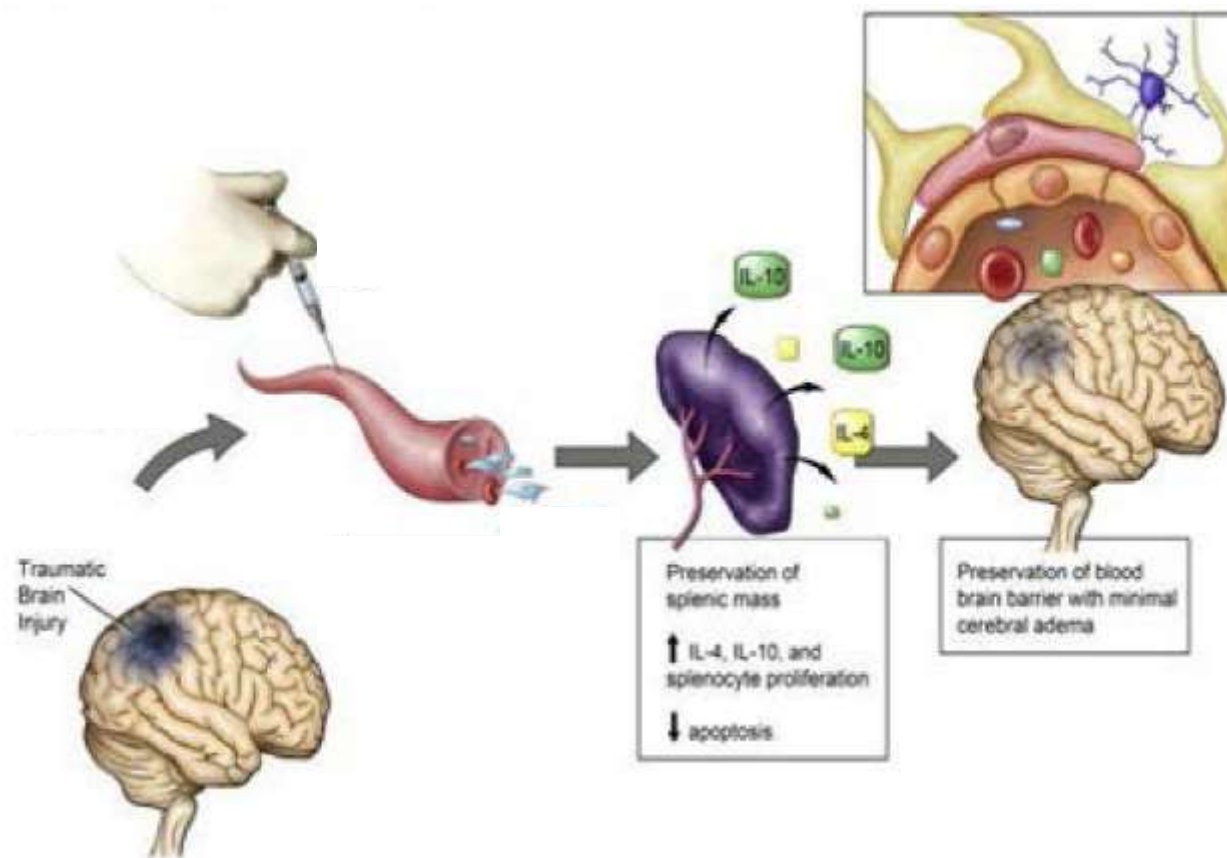
（出所）日本の年間発症患者数は、総務省消防庁、厚生労働省資料及びDatamonitor等を基に当社推定。

（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。



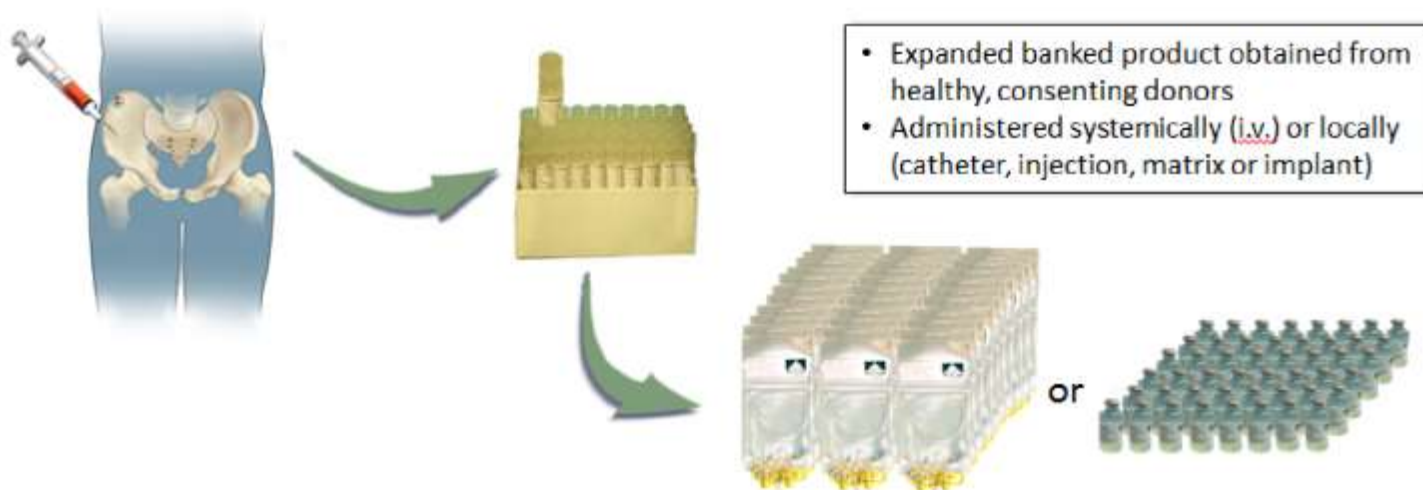
## 炎症や免疫反応を抑えて神経細胞の損傷を抑制し、神経保護物質を産生

- 急性神経障害後の点滴静脈投与により、MultiStemは脾臓に分布して炎症免疫細胞の活性化を抑制
- 種々のサイトカインや増殖因子を放出して神経保護作用を促進



(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

## 新規技術による細胞治療製品 (MultiStem)



- 特許取得済み
- 免疫抑制剤が不要
- 長期保管が可能（凍結保存）
- 一貫した安全性
- 複数の薬理作用に基づく有効性
- 投与した細胞は体内から安全に消失

(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

Copyright © HEALIOS K.K. All rights reserved.

## 治験製品が投与された全症例の解析 – 安全性

- 治験製品が投与された全症例の解析にて、プラセボに比べて劣らない安全性成績であった。

投与90日後の結果	MultiStem (n=65)	プラセボ (n=61)	群間差
治験開始時のNIHSSスコア	13.4	13.3	–
死亡率	6.2%	14.8%	8.6%
生命を脅かす有害事象及び死亡	10.8%	24.6%	13.8% * *
二次性感染症	36.9%	47.5%	10.6%
尿路感染症	18.5%	27.9%	9.4%
入院日数	7.9日	9.8日	1.9日

NIHSS : National Institute of Health Stroke Scale 神経症状障害度

\* \* :  $p \leq 0.05$

治験製品が投与された症例の二次解析 – 有効性

- 発症後36時間以内にMultiStemを投与された対象による二次解析にて、投与90日後にプラセボに比べて有意に良好な回復を示した。

投与90日後の結果	MultiStem (n=27)※	プラセボ (n=52)※	群間差
治験開始時のNIHSSスコア	12.9	13.4	–
優れた転帰の症例 (mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上)	18.5%	3.8%	14.7% * *
包括的に回復した症例 (mRS 2以下、NIHSS 75%以上改善かつBI 95以上)	44.4%	17.3%	27.1% * * *
mRS ≤ 2	48.1%	30.8%	17.3%
NIHSS Δ > 75%	51.9%	30.8%	21.1% *
Barthal Index ≥ 95	55.6%	38.5%	17.1%

※tPA及び機械的塞栓回収術を併用した症例を除く

mRS: modified Rankin Scale 概括障害度

BI: Barthel Index 日常生活動作指標

\* : p ≤ 0.10

\* \* : p ≤ 0.05

NIHSS: NIH Stroke Scale 神経症状障害度

\* \* \* : p ≤ 0.01

(出所) Athersys社提供資料を基にヘリオス作成

## 専門家のコメント

### 北海道大学病院病院長・大学院医学研究科医学部脳神経外科教授 寶金清博教授より

「アサーシス社が、欧米で実施した脳梗塞に対する細胞療法（MultiStemによる治療）の国際第二相試験では、神経症状がプラセボと比較して有意に改善する可能性が示されました。さらに、この欧米の試験の二次解析の結果では、アサーシス社のMultiStemによる治療が、脳梗塞発症後18–36時間の患者さんに対する有効な治療法である可能性が示されました。今後、t-PAの使用時間の4時間半への延長や、機械的塞栓回収術などの実臨床条件下での有効性を示す試験が期待されます。超急性期に、すでに準備された細胞を静脈投与する本治療法は、汎用性が高く、簡便であり、有効性が証明されれば、標準的な治療法として広く普及することも期待されます。脳梗塞治療の大きな変革をもたらす可能性があります。」

北海道大学病院病院長・大学院医学研究科医学部脳神経外科教授 寶金清博教授

#### <主な経歴>

2001年-2010年 札幌医科大学脳神経外科 教授

2010年-現在 北海道大学脳神経外科 教授

2013年-現在 北海道大学病院 病院長

2014年 北海道大学 大学病院 教授

(出所) <http://researchmap.jp/hokudaihoukin/>

## 脳卒中領域への展開

- 脳梗塞に新しいメカニズムの治療法を提案でき、高い市場ニーズが期待できる
- 再生医療等製品として、いちはやく日本の患者に届ける

## iPSC再生医薬品分野との技術的な相乗効果

- 再生医療等製品（3次元臓器）の原料として、生産および開発効率を大幅に高めることが期待
- GMPグレードの大量細胞培養技術を持つ企業とのアライアンス構築

## 当社の早期収益化を企図

- 既に欧州・米国では、第Ⅱ相臨床試験を実施
- 日本国内においても、早急に臨床試験への着手を予定

## 6. ニュースフロー

---

## 着実な進捗

2015

2016

**済** 京都大学iPS細胞研究所から  
再生医療用iPS細胞（親株）  
を受領

- 拒絶反応が起きにくいHLA型、品質が保証された他家iPS細胞
- 親細胞を培養させ貯蔵

**済** 大日本住友製薬からiPS細胞  
マスターセルバンクを受領

- マスターセルバンクをさらに培養増殖し貯蔵
- 凍結により保存

iPS細胞ワーキングセル  
バンクの作製

- 再生医療用RPE細胞を作製

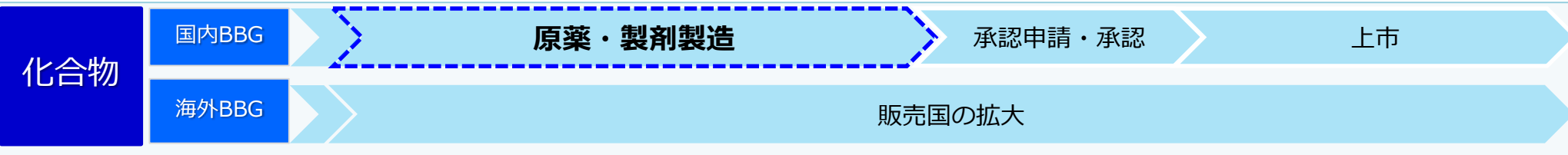
治験届の  
提出

国内臨床試験開始





# 主要ニュースフローまとめ



点線 : 現在進行しているマイルストーン  
 灰色 : 完了したマイルストーン

本資料中の将来の事象等に関する記載には、本資料の発表時点において入手可能な情報に基づく当社の仮定、見込み等が含まれます。そのため、実際の業績、開発進捗等は、今後の研究開発の成否や将来における当局の対応等、現時点では不明又は未確定な要因によって、本資料の記載とは異なる結果となる可能性があります。

なお、本資料は開発中又は上市済みの医薬品、再生医療等製品及び医療機器に関する情報を含んでおりますが、それらの情報は宣伝広告又は医学的アドバイスを目的とするものではありません。



# Healios

<お問い合わせ先>

株式会社ヘリオス 人事総務部

コーポレートコミュニケーショングループ

電話：03-5777-8308

報道関係者の方:pr@healios.jp

投資家の方:ir@healios.jp