

2019年6月13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 CEO 鍵本忠尚
(コード番号: 4593 東証マザーズ)
問合せ先 執行役 CMO 管理領域管掌 澤田昌典
(TEL: 03-5777-8308)

IPS細胞由来網膜色素上皮細胞による治療法の 日本国内における共同開発体制の変更に関するお知らせ

当社は、現在、iPSC 再生医薬品分野及び体性幹細胞再生医薬品分野において再生・細胞医薬品の開発を進めております。iPSC 再生医薬品分野では、日本国内における共同開発パートナーである大日本住友製薬株式会社（以下、「大日本住友製薬」といいます。）と iPS 細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞による治療法の治験開始に向けて準備を進めております。体性幹細胞再生医薬品分野では脳梗塞急性期及び急性呼吸窮迫症候群に対してそれぞれ治験を実施中です。

このような状況のなか、当社としては一日も早く患者さんへ新しい治療法を届け、製薬企業としての製造販売体制を整えるため、当社の臨床開発の経営資源を、体性幹細胞再生医薬品分野で実施中の2つの治験（脳梗塞急性期及び急性呼吸窮迫症候群）に短期的に集中するとともに、大日本住友製薬との iPS 細胞由来 RPE 細胞による治療法の共同開発体制を見直すことを決定し、その変更につき、大日本住友製薬と合意いたしましたのでお知らせいたします。

<変更の概要とその理由>

当社は、2013年2月に iPS アカデミアジャパン株式会社との間で RPE 細胞を有効成分として含有する細胞製品を対象とする全世界を許諾領域とした iPS 細胞樹立基本技術に関する特許実施許諾契約を締結して非独占的ライセンスを受けております。また、国立研究開発法人理化学研究所（以下、「理研」といいます。）との間で同年3月に iPS 細胞を含む多能性幹細胞由来 RPE 細胞を有効成分として含有する再生医療製品を対象とする全世界を許諾領域とした特許実施許諾契約を締結し、独占的ライセンスを受けております。

さらに、これらの特許許諾に基づき iPS 細胞由来 RPE 細胞による治療法の開発を進めるため、2013年12月、大日本住友製薬との間で、日本地域に限定した共同開発に合意し、①当社の保有する知的財産権の実施許諾に関する実施許諾契約書、②共同開発を行う上での役割分担や費用負担を定めた共同開発契約書、及び③当該製品の製造や販売促進業務を受託する合弁会社の設立と同社への業務委託料等を定めた合弁契約書を締結いたしました。

このような共同開発体制のもと、当社は、理研によって考案された iPS 細胞から RPE 細胞を分化誘導し移植する技術・知見を基礎として、量産化・品質の安定化等に向けた当社独自の技術・知見を加えて製品化に向けた研究・開発を進めてまいりましたが、iPS 細胞という新規技術を用いた治療法の実現には、当社と大日本住友製薬のみならず様々なステークホルダーも交えた長期的な開発体制が必要となるなか、資源配分の有効性を考慮した結果、共同開発体制の変更が適切であると判断いたしました。

今回合意した共同開発体制の主な変更は以下のとおりです。

①開発における役割分担の変更

2013年12月に締結した共同開発契約において、当社が主体となって治験を行い、製造販売承認申請等を行うことに合意しておりましたが、今後は、大日本住友製薬が主体となり治験を実施することが効率的と判断いたしました。そして、その結果に基づき大日本住友製薬及び当社の両社がそれぞれ製造販売承認申請を検討する、という体制に変更いたします。

②実施許諾契約の変更

実施許諾契約において、開発の進捗に伴って大日本住友製薬より当社に支払われるマイルストーン金は総額 16 億円（うち 7 億円は受領済み）と合意されておりましたが、この度の共同開発体制の変更に伴い、大日本住友製薬より当社に支払われるマイルストーン金は総額 10 億円（うち 7 億円は受領済み）に変更となります。受領のタイミング、金額等の詳細は公表しておりません。

また、開発費用に関しては、当社が主体となって開発を行うことを前提に、従前は最大 52 億円を大日本住友製薬が負担することに合意しておりましたが、この度の大日本住友製薬が主体となる開発体制への変更や将来的な製造販売体制の見直しに伴って、費用負担についても柔軟性を持たせる枠組みへ変更をいたしました。なお、両社の開発戦略に関わるため枠組みの詳細は非公表といたします。

当社から大日本住友製薬に対する RPE 製品に関する特許実施許諾に関しては、日本国内における独占の実施許諾に加えて、海外においては非独占的に許諾することとなりました。

③合弁会社の役割変更

合弁契約に基づき、2014 年 2 月に当社及び大日本住友製薬が 50%ずつ出資し、RPE 細胞製品の製造及び販売促進業務を独占的に委託するため、株式会社サイレジェン（以下、「サイレジェン」といいます。）を設立いたしました。

しかしながら今後、当社と大日本住友製薬の両社が製造販売承認申請する場合、サイレジェンには RPE 細胞製品の製造のみが委託されます。

現在サイレジェンは、約 20 名での製造体制の構築が着実に進んでおります。

本件に関して、当社代表執行役社長 CEO の鍵本忠尚は以下のとおり述べております。

「この度の共同開発体制の変更は、当社の眼科領域での挑戦を止めるものではなく、世界中の患者さんへ新たな治療法を届けられるよう、長期的な開発戦略構想の実現に向けたものです。失明撲滅という創業の志を完遂する為にも、複数の技術提携候補先の技術評価などを進めております。加えて、遺伝子編集技術により免疫抑制剤の使用が不要、あるいは最小で済むような次世代 iPS 細胞の作製も進行しております。短期的には当社の経営資源を実施中の治験に集中し、長期的にはこれらの技術基盤を統合し、初心を実現したいと考えております。」

本件による 2019 年 12 月期業績への影響につき、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