



2019年12月期 決算説明資料

Company

株式会社ヘリオス（東証マザーズ：4593）

Date

2020/2/13





1. 戦略／アップデート(HLCN061：NK細胞)	02
2. 開発パイプライン	07
3. HLCM051 Stroke	08
4. HLCM051 ARDS	14
5. HLCR011 AMD	20
6. HLCL041 LIVER OrganBud Platform	28
7. 決算概況	33
8. 参考資料	36

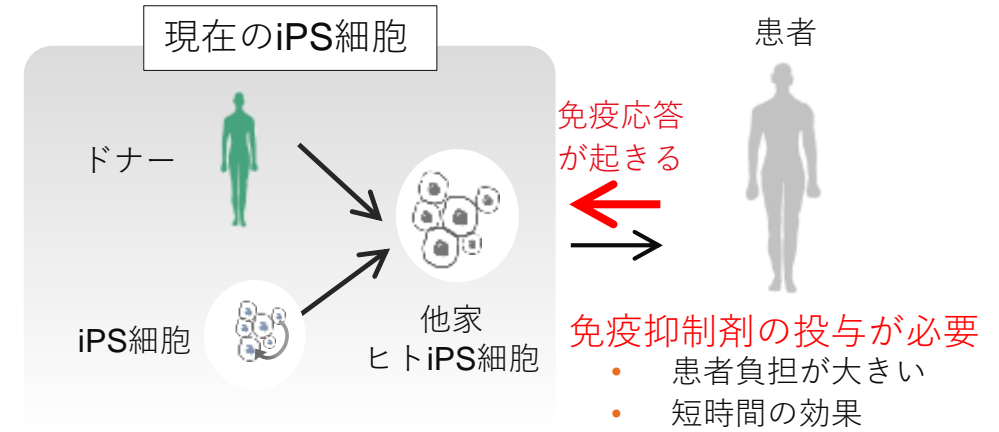
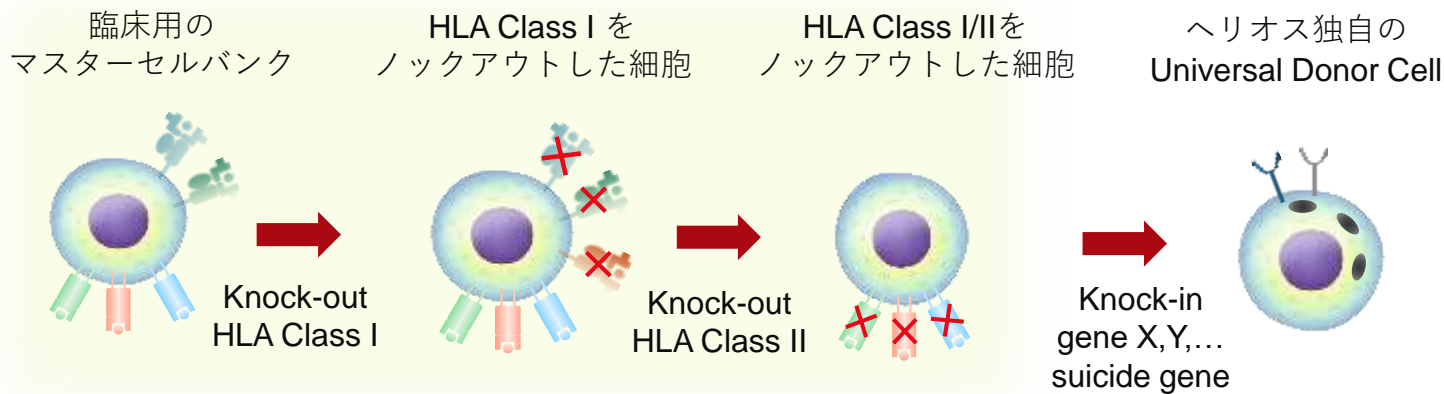
体性幹細胞製品で生み出した利益を幹細胞Platformに再投資し、新たな製品群を開発
ベンチャーキャピタル設立により、事業への相乗効果を期待

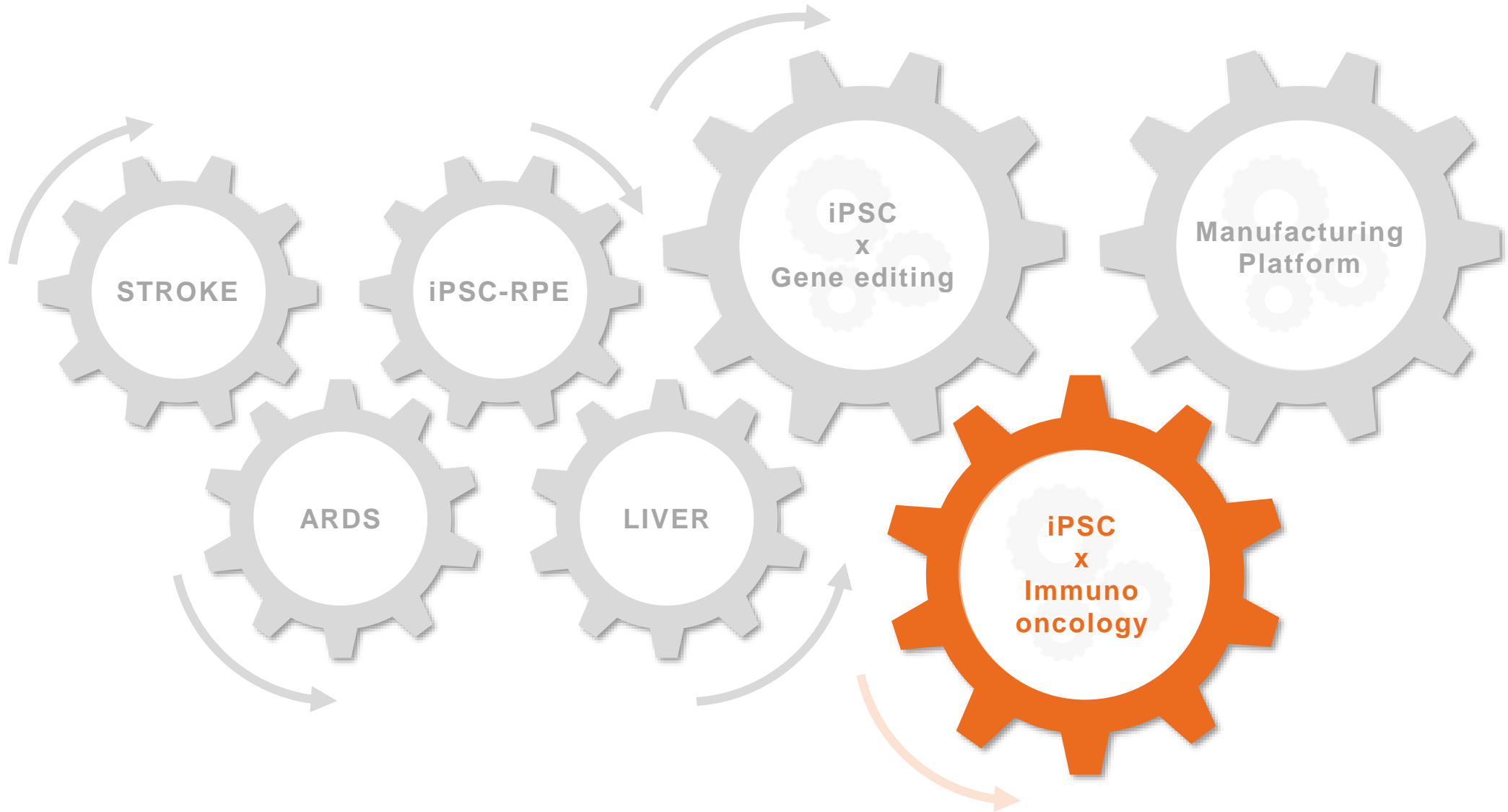


遺伝子編集技術を用いてヘリオス独自の細胞の作製

- 免疫拒絶反応を抑えた他家iPS細胞(Universal Donor Cell : UDC) を作製
- 眼科領域、次世代がん免疫細胞、臓器原基への活用
- グローバル基準に合った臨床グレードの細胞
- FDAおよびPMDAとの相談を既に開始し、
近い将来に研究株の配付を開始する予定

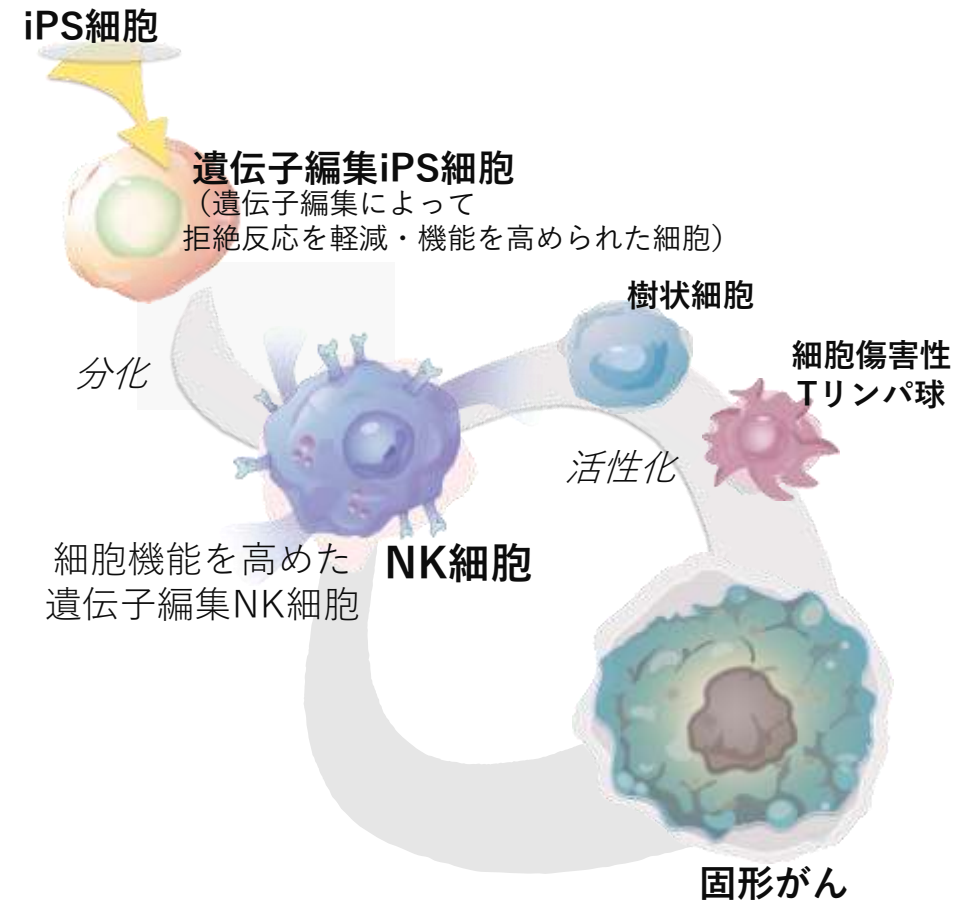
Universal Donor Cell 作製技術



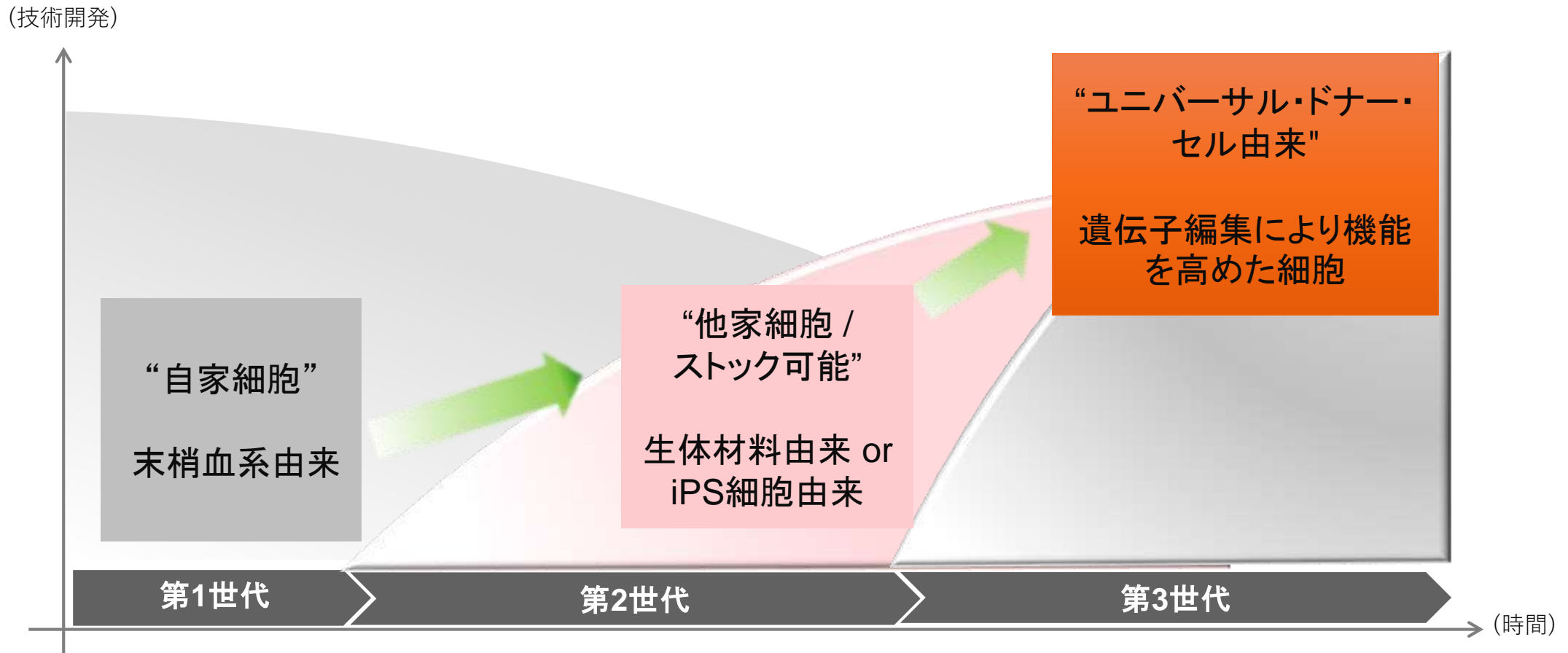







NK (Natural Killer : ナチュラルキラー) 細胞は人間の体に生まれながらに備わっている防衛機構であり、がん細胞やウイルス感染細胞などを攻撃する白血球の一種でリンパ球に分類されている

- 遺伝子編集技術でNK細胞の抗がん活性を増強し、強力な抗がん活性の機能が期待できる。
- 特定のがん抗原に限定されず、幅広いがん疾患に有効性が期待できる可能性がある。
- NK細胞を用いた治療の有効性としては延命効果、症状の緩和や生活の質の改善、治癒が期待できる。



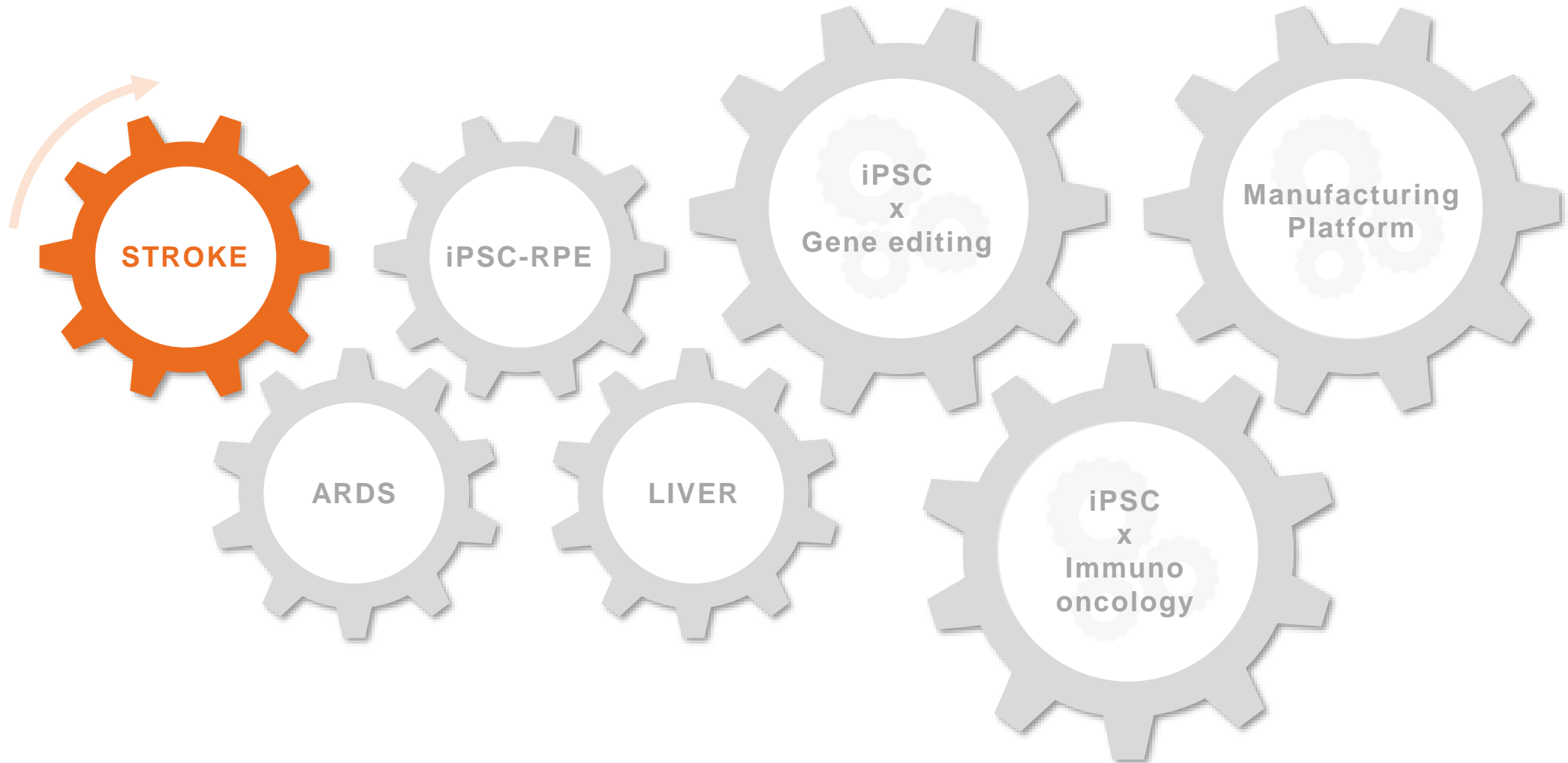
UDC の使用により免疫拒絶反応の抑制や効力の持続が期待される
iPS細胞を用いることで安価に安定した製造と品質を確保できることが期待される



市場	事業分野	開発コード	適応症	前臨床試験	治験	申請～承認	上市	進捗状況
日本	体性幹細胞再生 医薬品分野	HLCM051	脳梗塞					治験実施中
			急性呼吸窮迫症候群					2019年4月より被験者組み入れ開始
	iPSC再生 医薬品分野	HLCR011	Wet AMD (*1)					大日本住友製薬と共同開発 治験開始に向けて準備中
			代謝性肝疾患					横浜市立大学と共同研究
			固形がん					遺伝子編集NK細胞(*3) を自社で研究開発

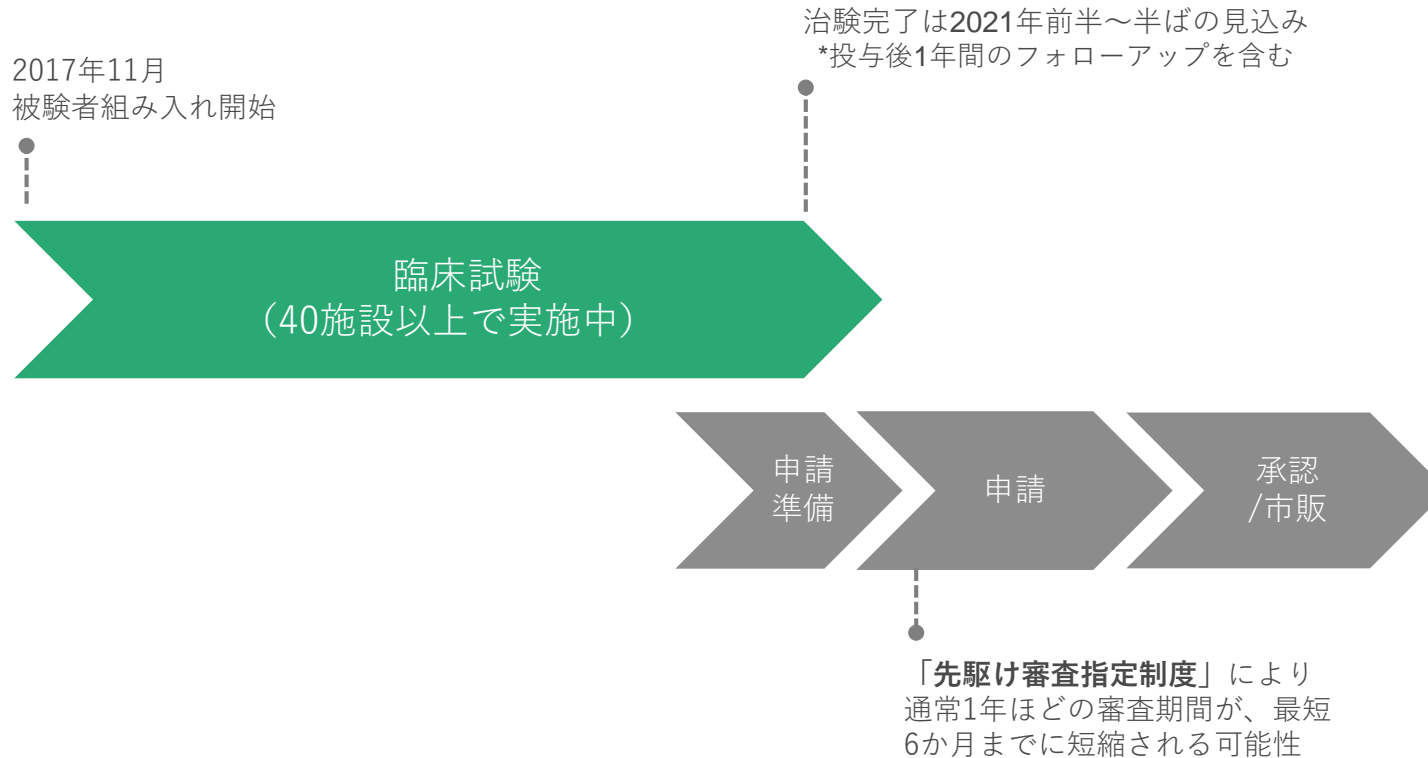
市場	事業分野	開発コード	適応症	前臨床試験	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請～承認	上市	進捗状況
米国 欧州	iPSC再生 医薬品分野	HLCR012	Dry AMD (*2)							NEIと共同研究開発
米国		HLCN061	固形がん							遺伝子編集NK細胞 を自社で研究開発

*1) Wet AMD: 滲出型加齢黄斑変性 *2) Dry AMD: 萎縮型加齢黄斑変性 *3)NK細胞: ナチュラルキラー細胞



脳梗塞急性期患者を対象に、HLCM051 (MultiStem®) の有効性及び安全性を検討する
第II/III相試験 (TREASURE試験) を2017年11月から実施中

TREASURE試験概況



詳細

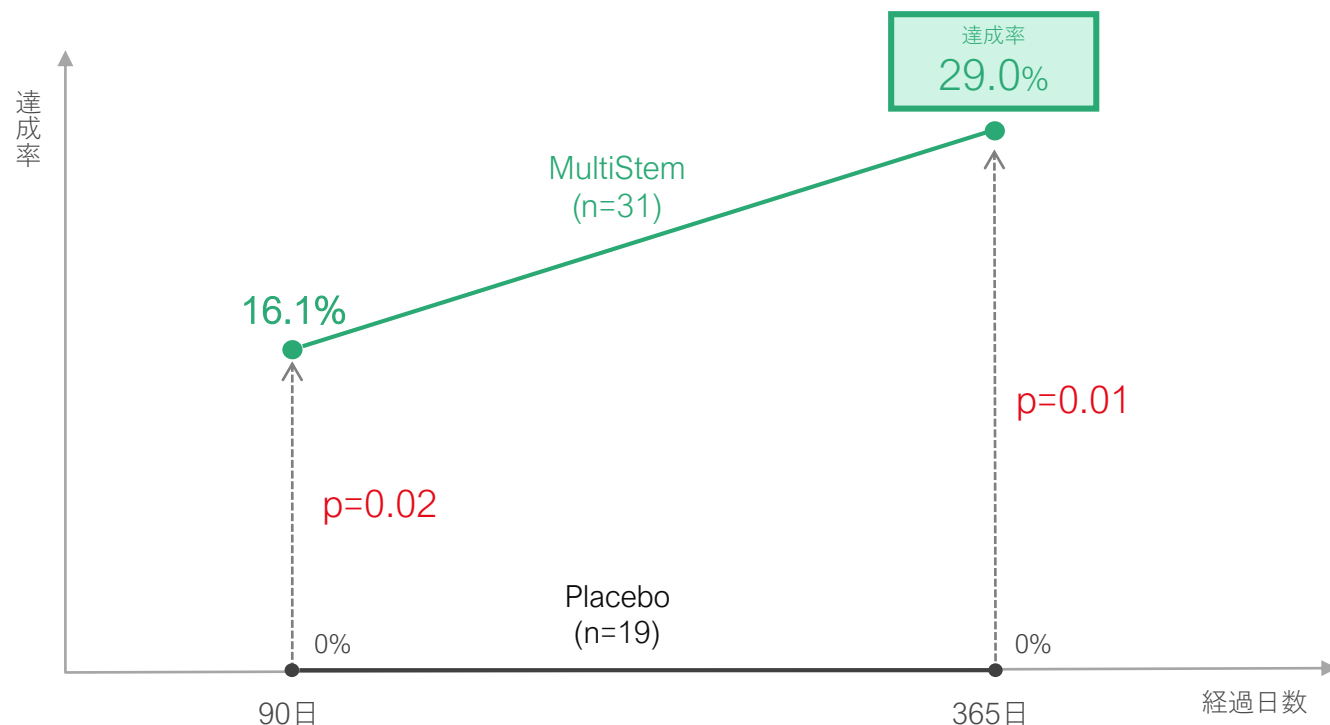
治験名	脳梗塞患者を対象としたHLCM051 (MultiStem®) の有効性及び安全性を検討するプラセボ対照二重盲検第II/III相試験 (TREASURE試験)
被験者	脳梗塞発症から18~36時間以内の患者
組み入れ	二重盲検、プラセボ対照
症例数	220 (MultiStem投与110例、プラセボ110例) 無作為割り付け
主要評価項目	90日後の機能評価で、Excellent Outcome (優れた転帰) を達成した被験者の割合

※Excellent Outcomeとは
脳卒中患者の機能評価に用いられる主要な指標、mRS、NIHSS、BIの3つにおいて、mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上の場合を“Excellent Outcome (優れた転帰)”と定義

第Ⅱ相試験追加解析の結果、Excellent Outcomeを達成した割合のプラセボ群との比較は、MultiStemを脳梗塞発症後36時間以内に投与された患者群で90日後、365日後ともに統計学的に有意であった

二重盲検試験結果

詳細



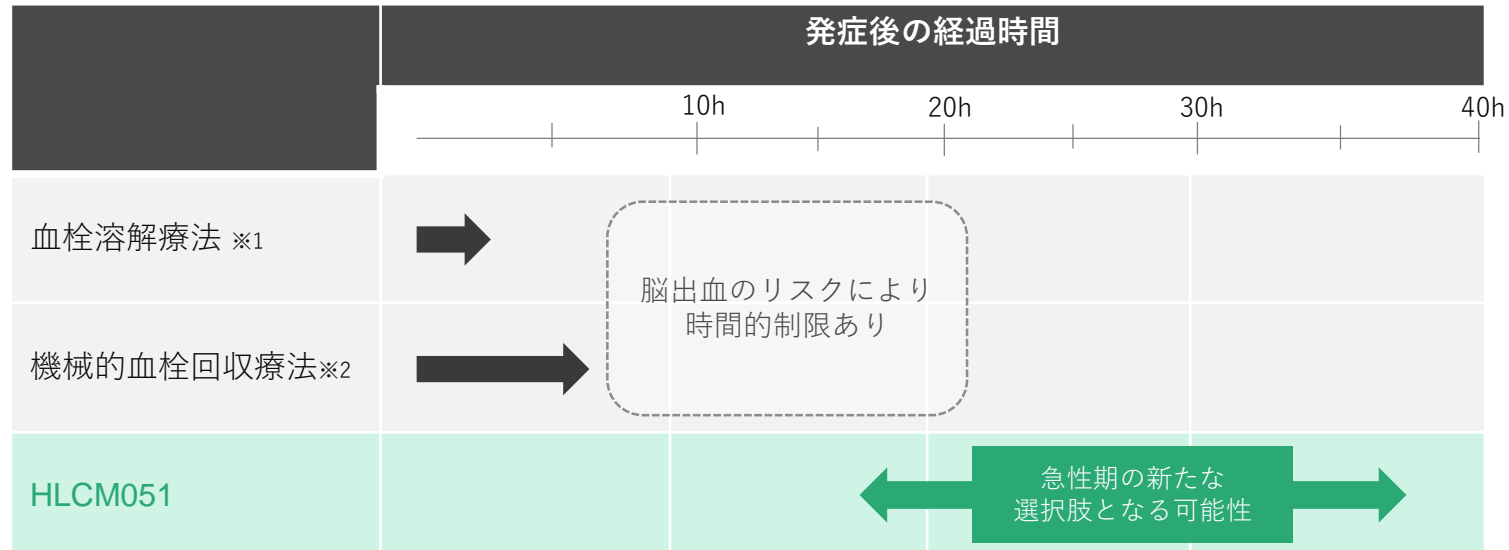
治験	アサシス社により米英にて実施されたプラセボ対照二重盲検第Ⅱ相試験 (MASTERS-1 trial)
対象患者	脳梗塞発症後36時間以内にMultiStemあるいはプラセボを投与された患者
評価項目	投与90日後、365日後にExcellent Outcome*を達成した割合

※Excellent Outcomeとは
脳卒中患者の機能評価に用いられる主要な指標、mRS、NIHSS、BIの3つにおいて、mRS 1以下、NIHSS 1以下かつBI 95以上の
場合を“Excellent Outcome (優れた転帰)”と定義

(出所) Lancet Neurol. 2017 May;16(5):360-368; 16 360-68のSupplementary appendix Table5を基に作成

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。

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。

脳梗塞とは

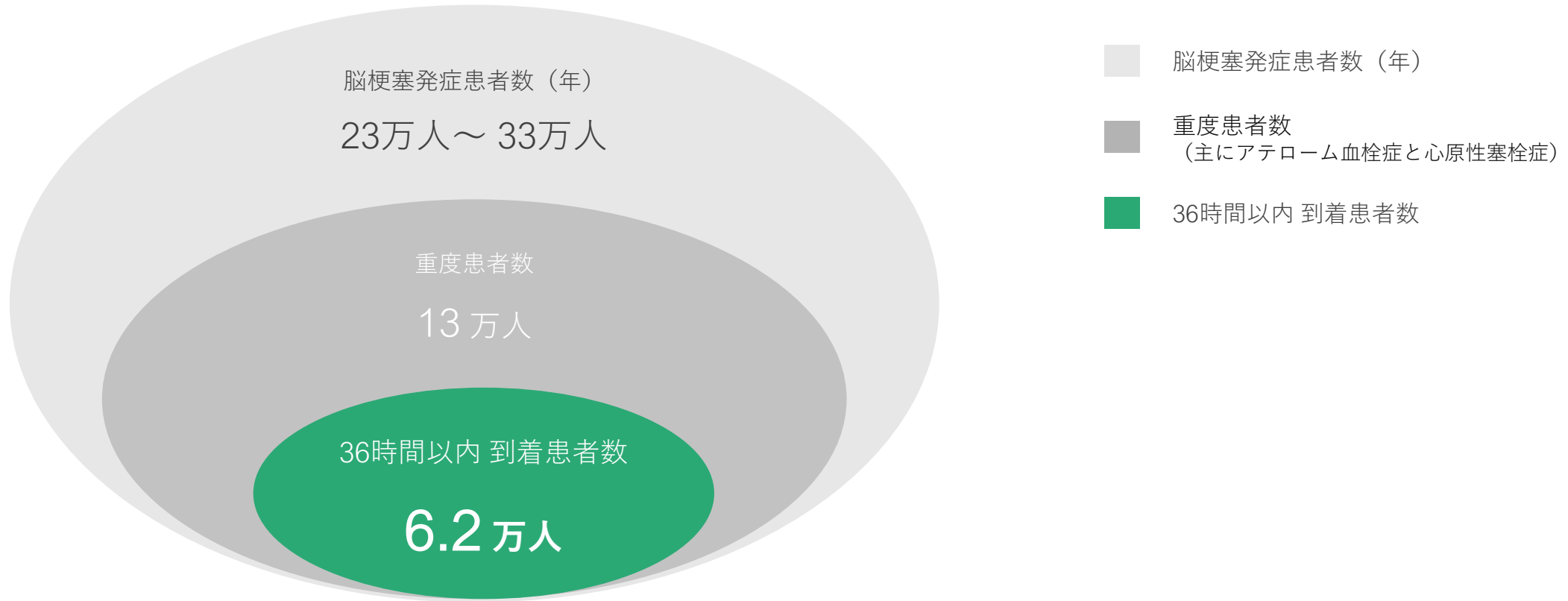
脳に酸素と栄養を供給する動脈が閉塞し、虚血症状になることで脳組織が壊死する病気。脳卒中には、脳出血と脳梗塞が含まれ、70～75%が脳梗塞と言われる。



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。

(出所) Athersys社提供資料

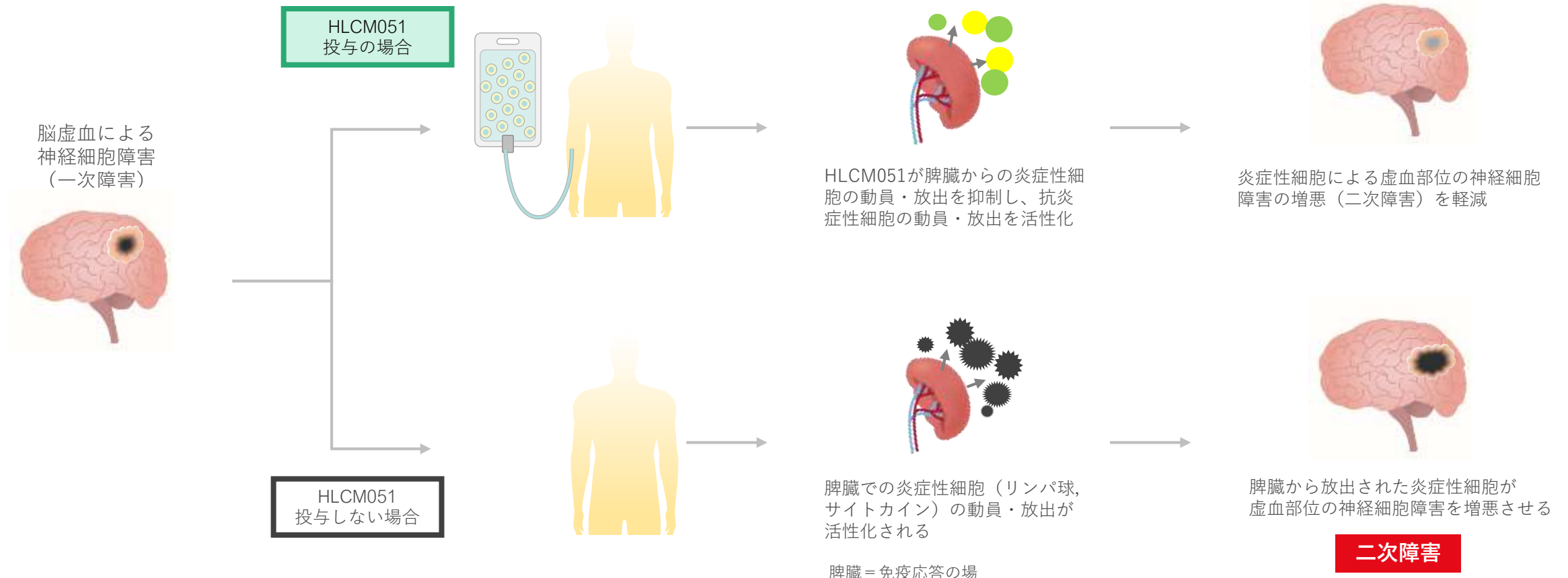
本製品の国内対象患者数は年間6.2万人と推定



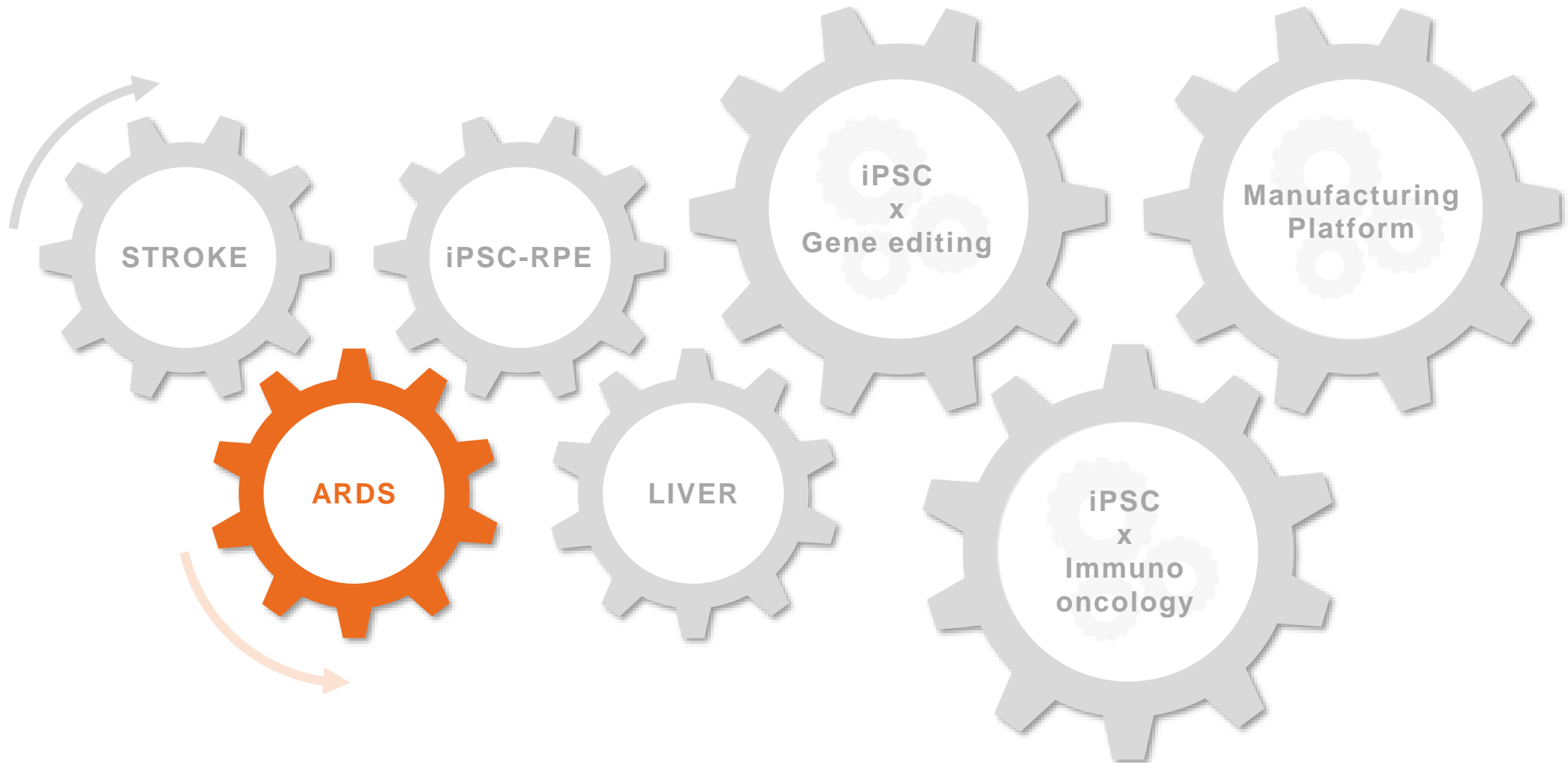
（出所）日本の年間発症患者数は、総務省消防庁、厚生労働省資料及びDatamonitor等を基に当社推定。

（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。

急性神経障害後の点滴静脈投与により、HLCM051は脾臓に分布し、炎症性免疫細胞が脳内に集積するのを防ぎ、脳梗塞急性期の炎症反応を抑える。増殖・栄養因子を放出して神経保護作用を促進する



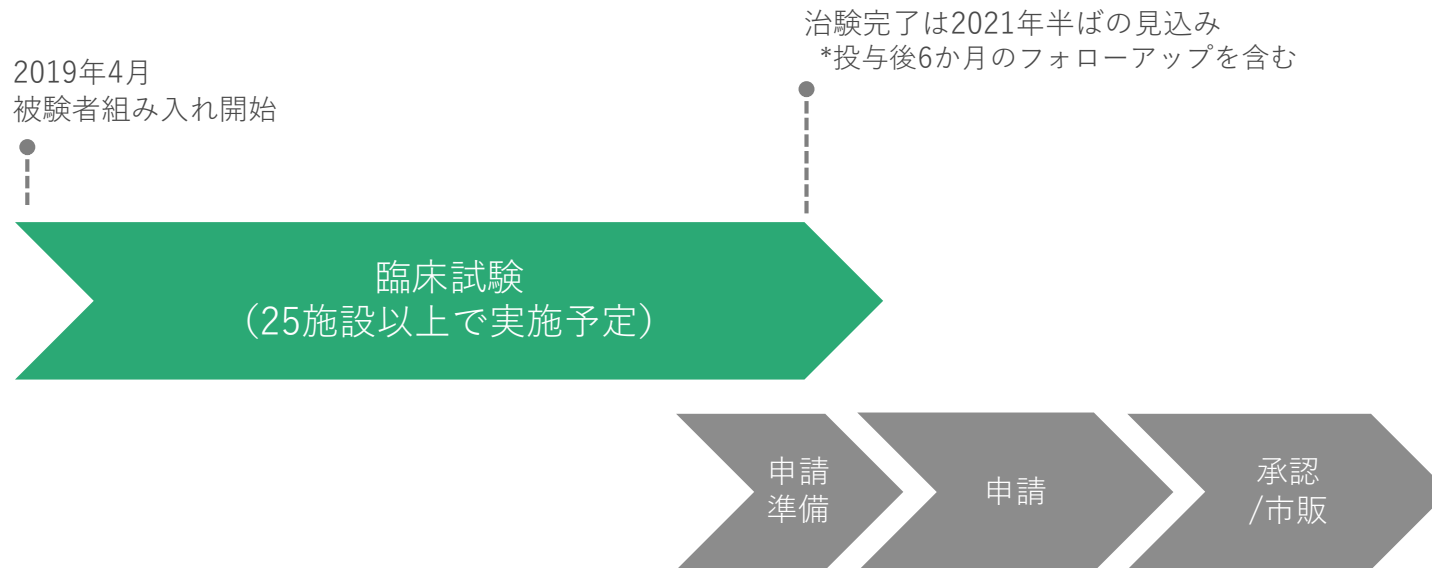
(出所) Stroke. 2018 May;49(5):1058-1065.Fig.2を基に図式化



肺炎を原因疾患とするARDS患者を対象に、HLCM051 (MultiStem®) の有効性及び安全性を検討する第Ⅱ相試験 (ONE-BRIDGE試験) を2019年4月より実施中

ONE-BRIDGE試験概況

2019年11月25日、希少疾病用再生医療等製品として指定されました。



詳細

治験名	肺炎を原因疾患とするARDS患者を対象としたHLCM051 (MultiStem®) の有効性及び安全性を検討する第Ⅱ相試験 (ONE-BRIDGE試験)
被験者	肺炎を原因疾患とするARDS患者
組み入れ	非盲検、標準治療対照
症例数	30 (MultiStem投与20例、標準治療10例) 無作為割り付け
主要評価項目	投与後28日間のうち人工呼吸器装着しなかった日数 (VFD: Ventilator Free Days)

治療が長期化する事の多い、きわめて予後不良の疾患であり、症状や生命予後を改善できる新規の治療法が望まれている

ARDSとは

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である。主な原因は、重症肺炎・敗血症・大量輸血・外傷等である。

ARDSを起こした肺では、基礎疾患や外傷などに伴い、炎症性細胞が活性化され、この細胞が肺を攻撃する。その結果、重度の呼吸不全を引き起こす。



（出所）Athersys社提供資料

一般的には、原因となる疾患や外傷が発生してから24～48時間以内に発生すると言われている。

また、発症後の**死亡率は全体の30～58%^(*1)**とも言われる。

(*1) ARDS診断ガイドライン2016

現在の治療法

現時点において、ARDSの生命予後を直接改善できる薬物療法はなく、人工呼吸管理による呼吸不全の対処療法しかない。ただし、人工呼吸器の使用が長期化すると、患者の予後が悪くなることが知られている。

治療が長期化する事の多い、極めて予後不良の疾患であり、症状や生命予後を改善できる新規の治療法が望まれている。

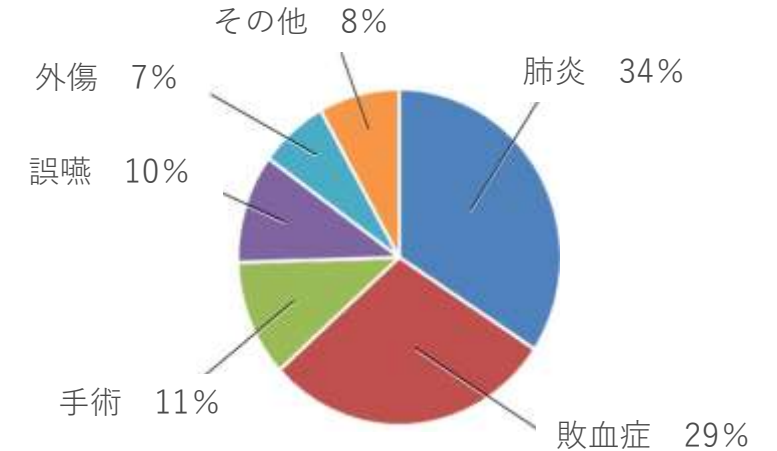
日本国内でのARDS発症患者数は、およそ7,000～12,000人と推定される
原因疾患は多岐にわたるが、およそ1/3は肺炎が原因疾患である

疫学データ

疫学データ	発症率	推定される国内ARDS患者数*1
50カ国のICU利用を調べた分析結果 出所：JAMA.2016; 315(8): 788-800	ICU 1床当たり0.42症 ICU入室の10.4% 機械的人工呼吸を要する患者の23.4%	11,937人
千葉県における急性肺障害(ALI)/ 急性呼吸窮迫症候群(ARDS)に関する疫学調査 出所：日本救急医学会雑誌2007; 18(6): 219-228	6.1/10万人	7,320人

ARDSの約1/3は肺炎が原因であるが、季節性の感染症では肺炎からARDSへ進行しやすく、鳥インフルエンザA (H7N9)で約71%*2、新型コロナウイルス (2019-nCoV) で約17%*3がARDSを発症したというデータもある。

ARDSの原因疾患



(出所) Respiratory Investigation; 55(4): 257-263

*1 (出所) 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
*2 (出所) Gao HN. et al., *N Engl J Med.* 2013 Jun 13;368(24):2277-85.
*3 (出所) Chen N. et al., *Lancet.* 2020 Jan 30. pii: S0140-6736(20)30211-7.

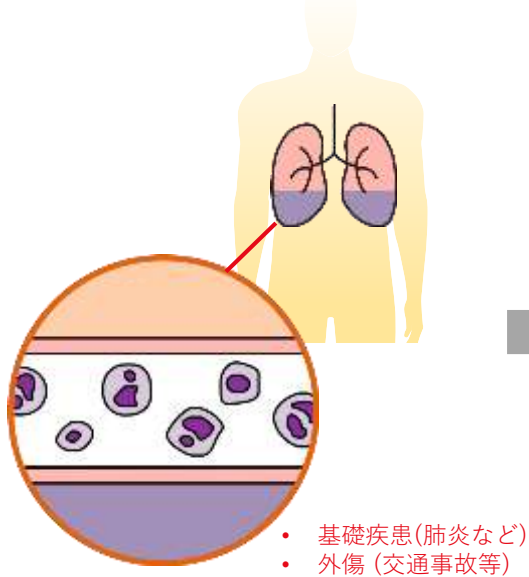
ARDS発症後の点滴静脈投与により、HLCM051が肺に集積し、肺における過剰炎症を抑制する
損傷を受けた組織を保護し、修復を促進する

炎症性細胞が大量放出

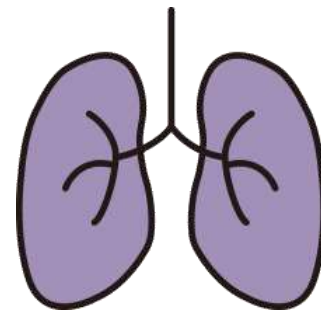
炎症性細胞が肺を攻撃

HLCM051投与

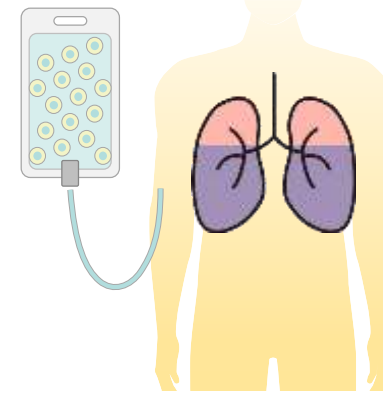
肺機能が改善



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

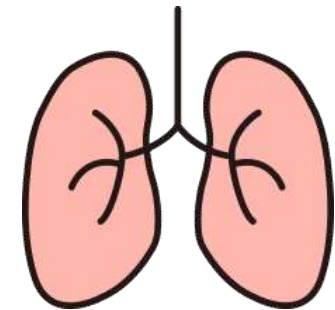


炎症性細胞が肺を攻撃する。
その結果、低酸素状態になり
重度の呼吸不全におちいる。



- 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、HLCM051が肺
に集積



人工呼吸器の早期脱却、
死亡率の低下が期待できる

アサシス社による二重盲検試験結果 <ARDS>

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

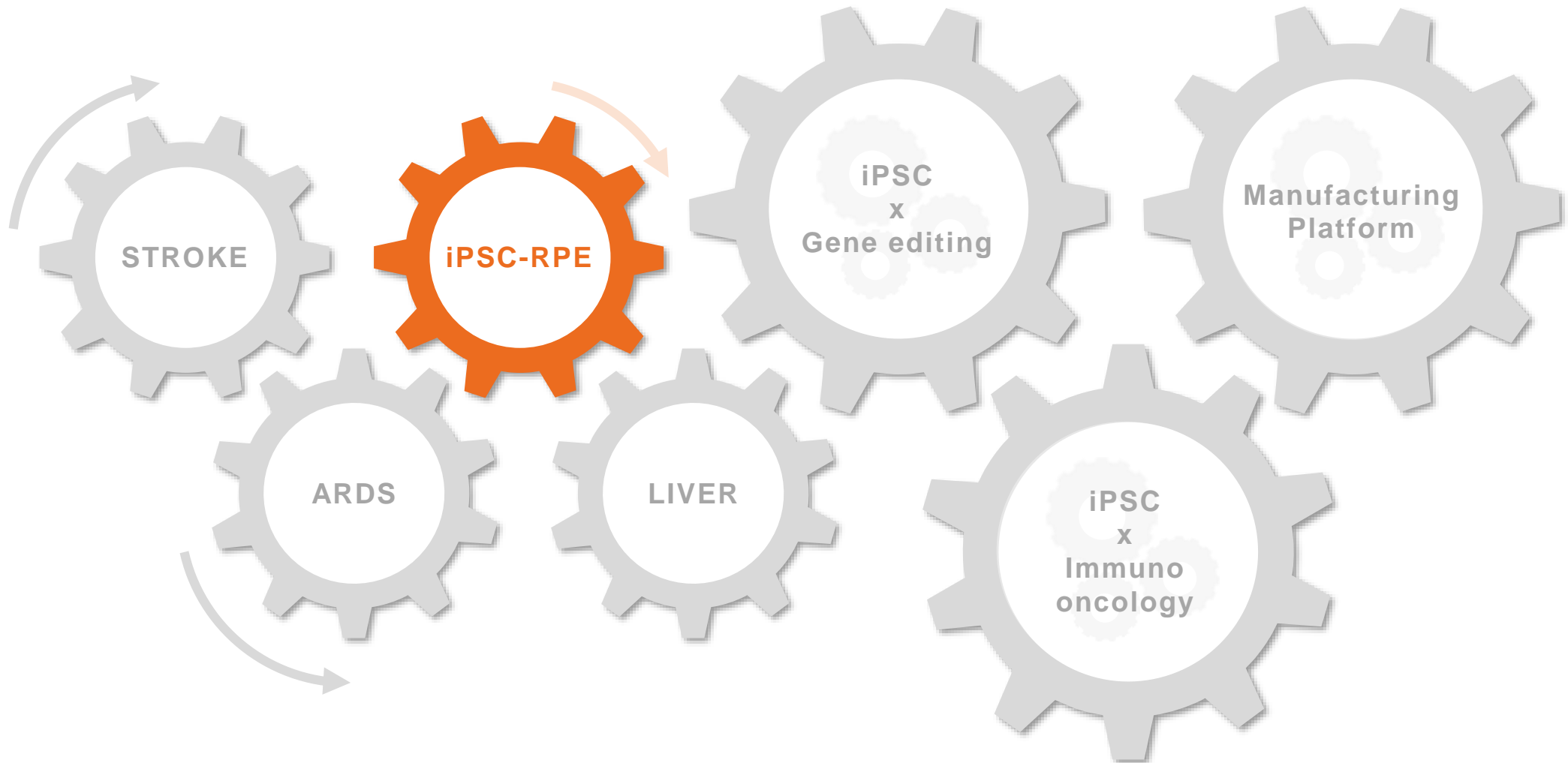
	MultiStem	プラセボ群
死亡率	20%	50%
投与後28日間のうち、人工呼吸器を装着しなかった日数	14.8日	7.5日
投与後28日間のうち、ICU（集中治療室）にいる必要がなかった日数	12.0日	5.0日

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

（出所）Athersys社提供資料



短期的に、当社の臨床開発の経営資源を、2つの実施中の治験に集中するため
日本国内での大日本住友製薬とのiPS細胞由来RPE細胞を用いた治療法の共同開発体制を見直し

主な変更点

①役割分担の変更

- ・ 今後、大日本住友製薬が主体となって治験を実施
- ・ 大日本住友製薬、当社の両社がそれぞれ製造販売承認申請を検討

②実施許諾契約の変更

- ・ 大日本住友製薬から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
- ・ 共同開発体制変更以降の開発費用負担は、新たな枠組みに変更（詳細は非公表）
- ・ **RPE細胞製品に関する特許実施許諾**に関し、海外も非独占的に許諾

③合弁会社の役割変更

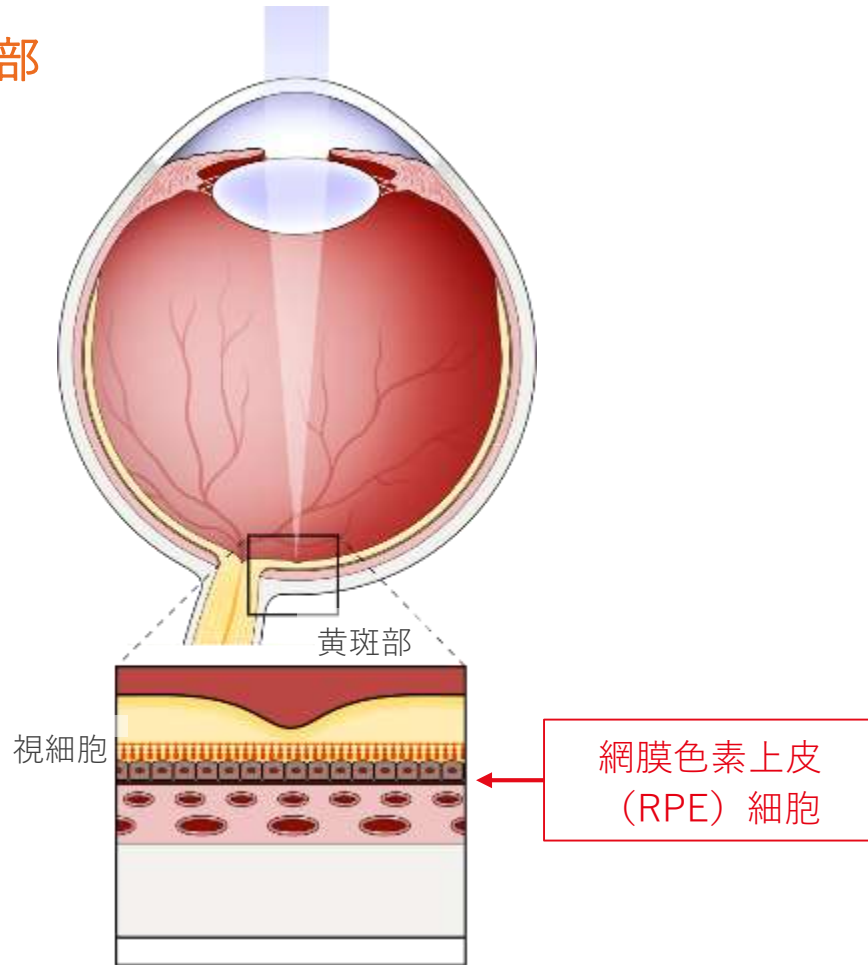
大日本住友製薬と当社が**50%**ずつ出資する合弁会社サイレジェンでは、**RPE細胞製品の製造のみが委託される**

共同開発体制の経緯



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

正常黄斑部



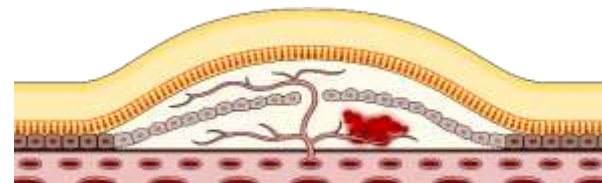
進行した萎縮型加齢黄斑変性 (Dry AMD)

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	1,000万人	923万人	1,300万人
重度のAMD罹患者数	200万人	69万人	260万人～322万人
重症化した Wet罹患者数	100万人～150万人	63万人	130万人～195万人
重症化した Dry罹患者数	85万人～90万人	6万人	110万人～117万人

(出所) 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症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出した（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出した（2010）。

(出所) Augood CA et al., *Arch Ophthalmol.* 2006 Apr;124(4):529-35

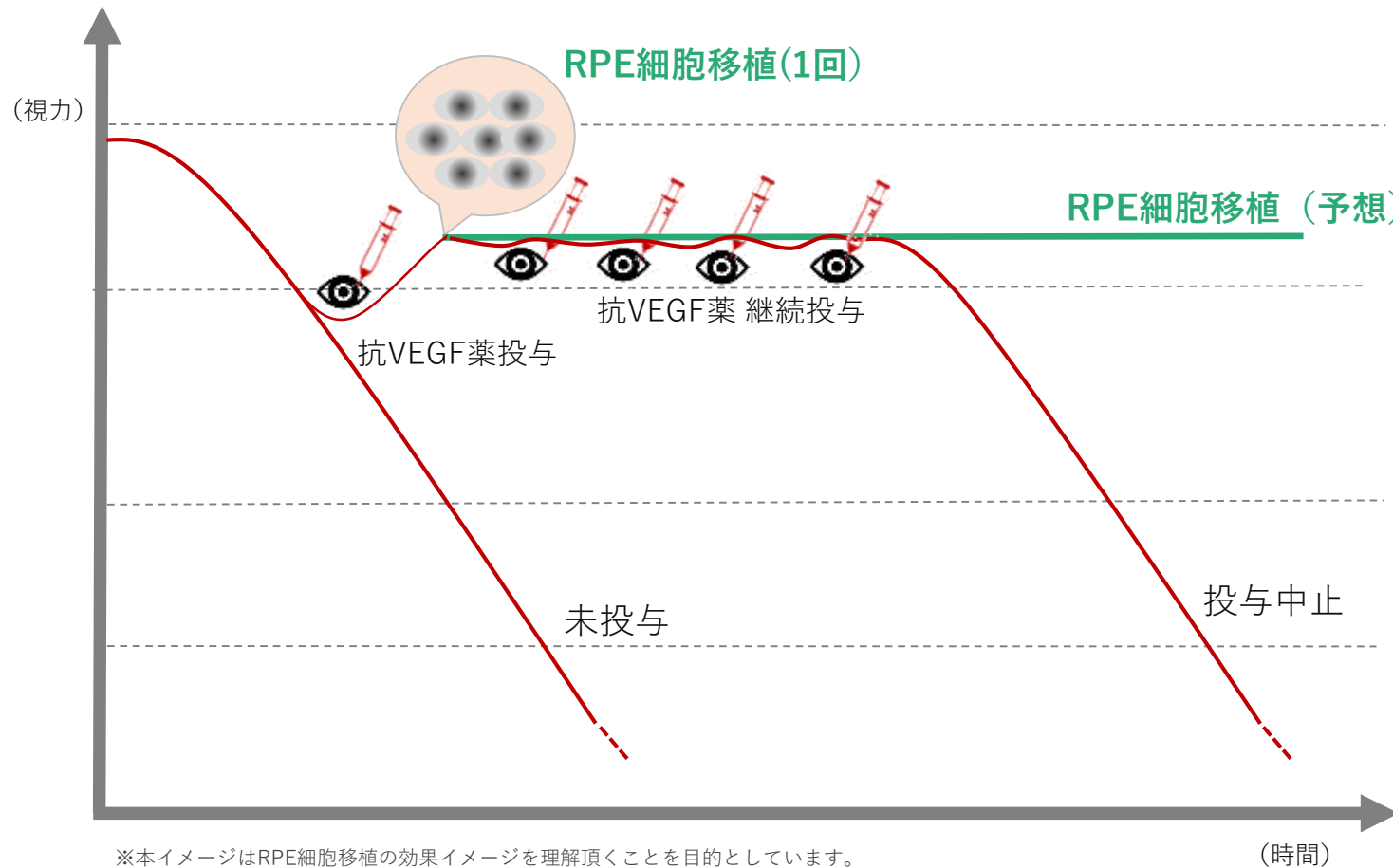
抗VEGF薬の売上は毎年増加している

Dry AMDは治療薬不在

適応疾患	治療薬/ 効能	年度				合計
			米国 	日本 	欧州その他	
Wet AMD 他3疾患	抗VEGF薬/ 新生血管の抑制	2016	5,202億円	638億円	3,440億円	9,280億円
		2017	5,730億円	708億円	3,901億円	10,339億円
		2018	6,309億円	785億円	4,402億円	11,496億円
Dry AMD						

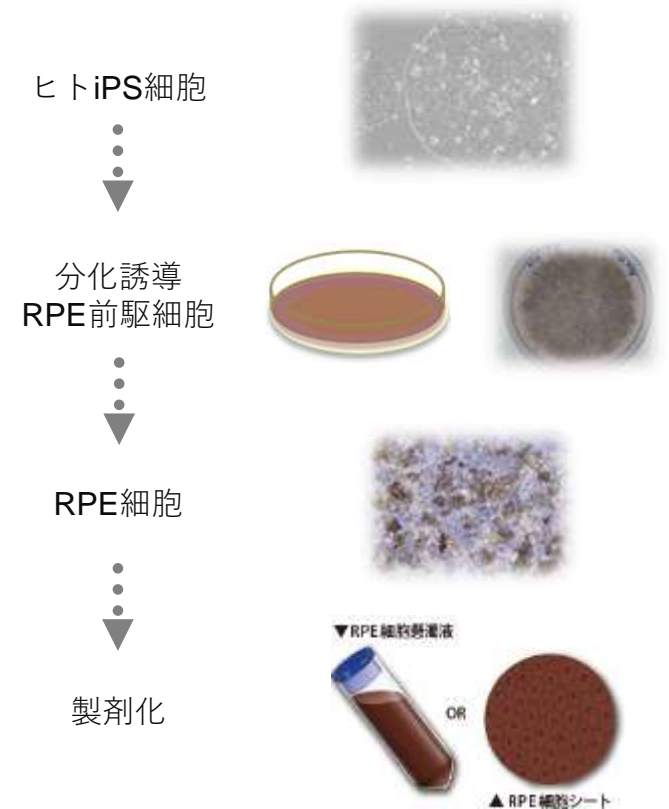
(出所) 市場規模は製薬会社各社 (Roche Diagnostic、Novartis、Regeneron、Bayer HealthCare、参天製薬) の公表資料より当社作成し適応拡大分を含む。
為替平均レートは、2016年度1\$ = 110円、2017年度1\$ = 112円、2018年度1\$ = 110円で換算。

早期治療を行うことで、より高い視力を維持できる可能性



※本イメージはRPE細胞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はありません。

iPS細胞由来RPE細胞製造工程



抗VEGF薬を使用してWet AMDの治療を受ける場合、年間治療費は約100万円
多くの場合、継続治療が必要である

年間医療費

$$\begin{array}{l} \text{抗VEGF薬の薬価+処置料など} \\ \text{約16万} \end{array} \times \begin{array}{l} \text{年間平均投与回数} \\ \text{6回} \end{array} = \begin{array}{l} \text{年間治療費} \\ \text{約100万円} \end{array}$$

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

 <p>50歳発症患者の治療継続期間 = 約30年</p>	<p>×</p>	<p>100万円</p>	<p>=</p>	<p>生涯医療費推定</p> <p>約3,000万円</p>
 <p>60歳発症患者の治療継続期間 = 約20年</p>	<p>×</p>	<p>100万円</p>	<p>=</p>	<p>約2,000万円</p>

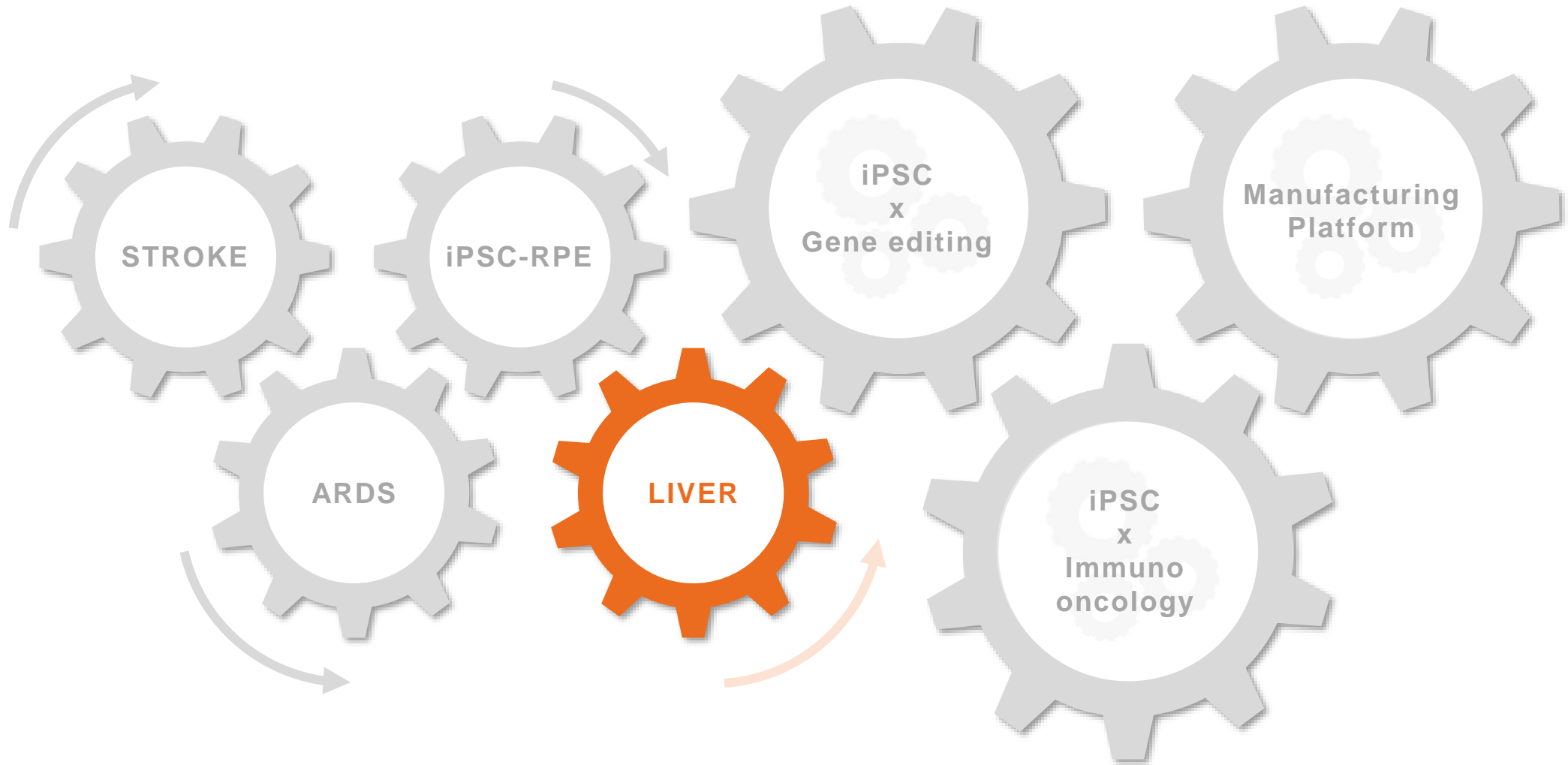
(出所)発症データ：米国国立眼科研究所、平均寿命：厚生労働省、平均投与回数：Berg K, et al Acta Ophthalmologica. 2017

サイレジエン（大日本住友製薬との合併会社）にて製造体制構築を進める

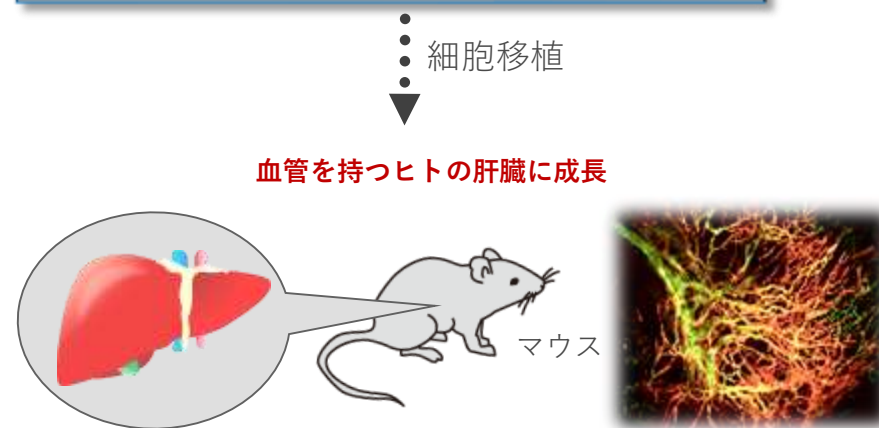
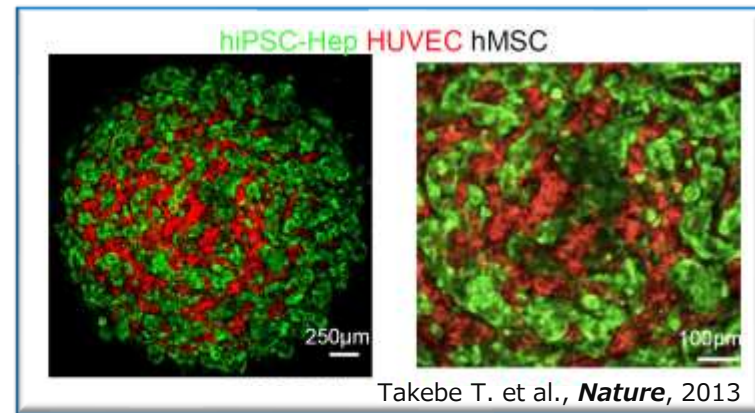
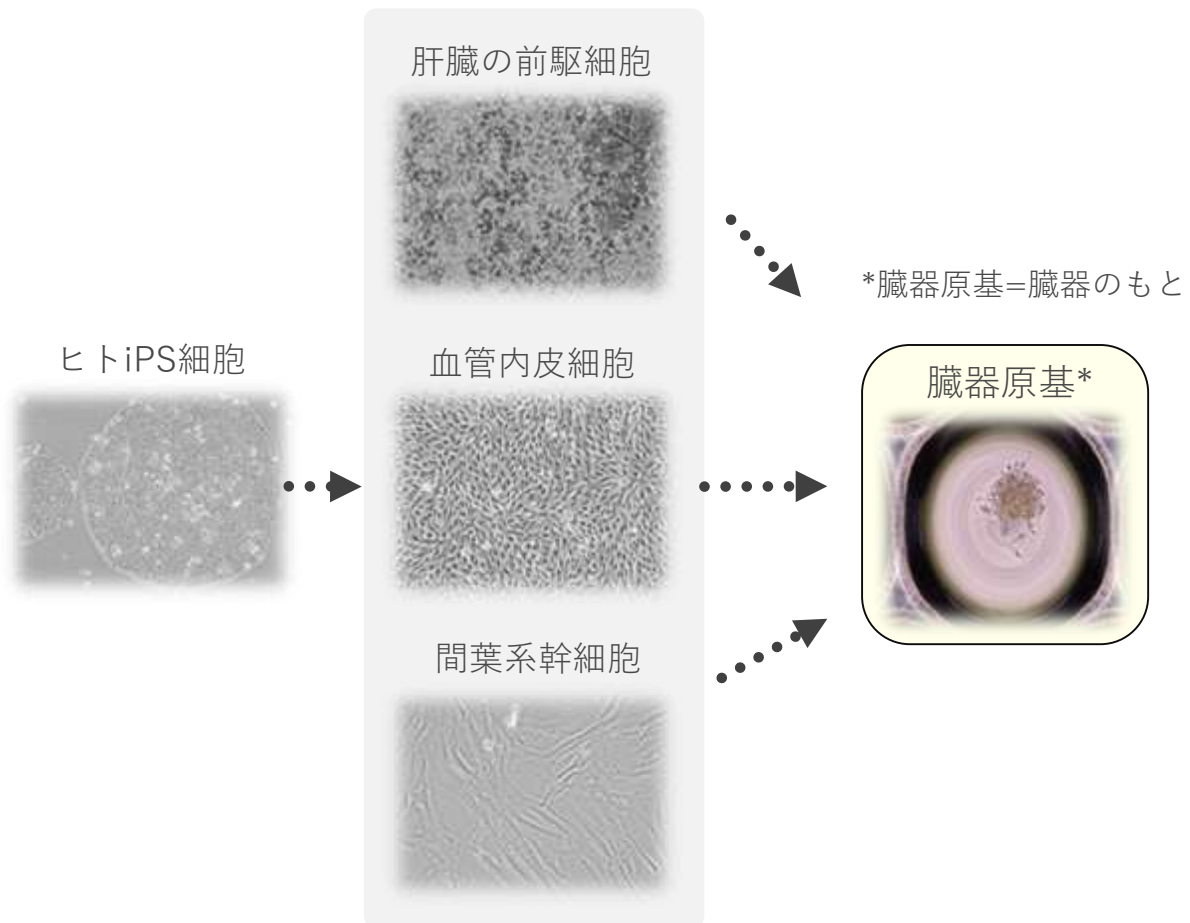
2018年3月、大日本住友製薬が大阪府に建設した再生・細胞医療製造プラントSMaRT

サイレジエンはSMaRT内の施設を賃借し「大阪工場」を開設
iPS細胞由来RPE製品製造体制の準備を開始





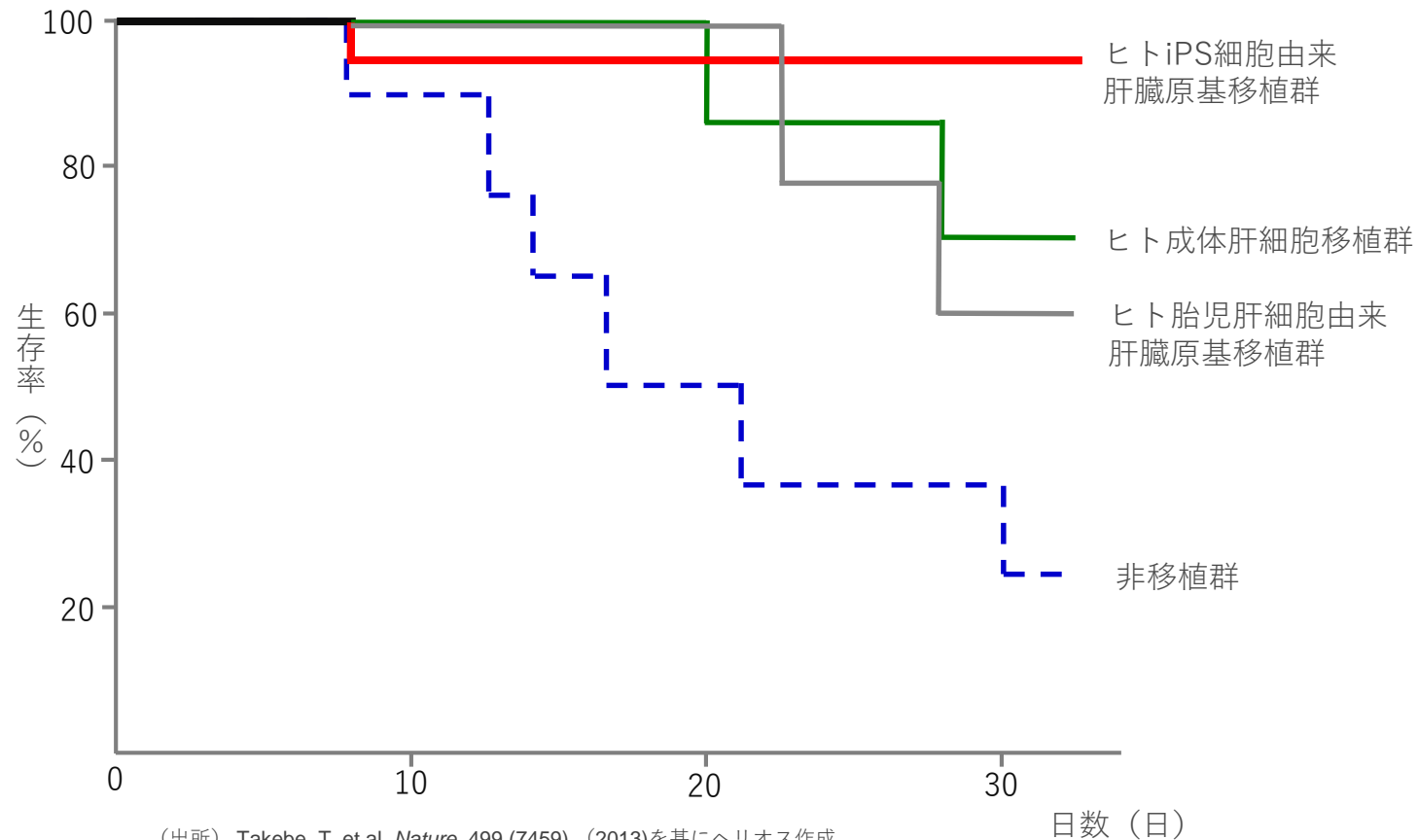
3種類の細胞の共培養により、臓器のもと（臓器原基）を創出



(出所) Takebe T. et al., *Nature Protocols*, 2014

移植実験では生存率が有意に改善
血管網の形成が鍵

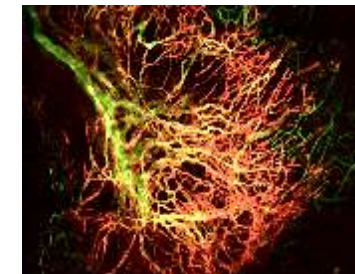
ヒトiPS細胞由来肝臓原基移植のマウスでの治療効果



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

詳細

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 Protocols*, 9, 396-409 (2014)

肝臓移植の代替医療に向けた研究開発を想定
将来的な注目疾患は肝硬変

肝臓移植の実施数

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

日本国内の肝硬変患者数

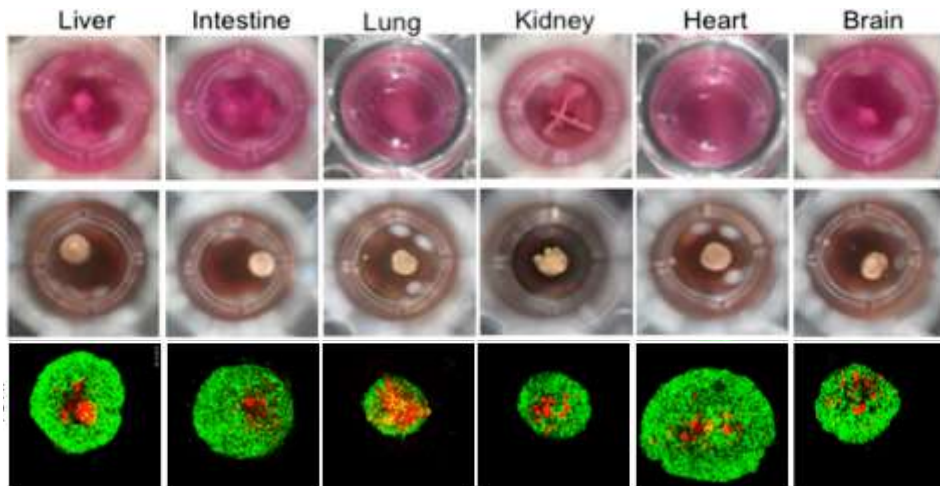
肝硬変 	国内患者数
国内推定患者数	40~50万人
医療機関を受診している肝硬変患者数	約56,000人
年間死亡者数	約17,000人

(出所) 「平成23年患者調査」、「肝がん白書2015」

肝臓病の進み方

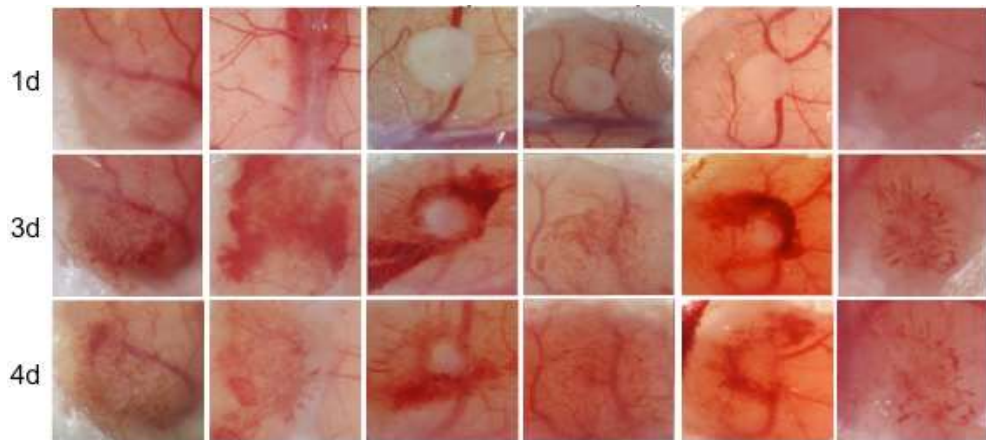


iPS細胞から各臓器の前駆細胞を誘導することで、様々な臓器への展開の可能性が広がる



緑：各臓器の細胞
赤：血管内皮細胞
黒：間葉系幹細胞

≡ それぞれマウスへ移植




様々な臓器由来の細胞と血管内皮細胞
及び間葉系幹細胞を用いて、
血管化された3D組織の構築を達成



マウスに移植することで
生体内での血管化を確認

(出所) Modified from Takebe T. et al., *Cell Stem Cell*, 2015

Three horizontal lines of varying colors (orange, red, yellow) stacked vertically on the left side of the slide.

決算概況

前年同期比では研究開発費が10億円減少したことで、営業利益は増加。当期利益は▲44億円となった


(単位：百万円)

	2018年12月期	2019年12月期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上高	—	—	—	
営業利益	▲5,063	▲4,271	792	研究開発費の減少 +1,051
経常利益	▲5,085	▲4,504	581	
当期利益	▲5,097	▲4,410	687	
研究開発費	4,269	3,217	▲1,051	
従業員数 (社員のみ)	93名	109名	16名	

2019年12月末の流動資産は185億円（前期末比：+62億円）となり、**資産合計が211億円**となった。

（単位：百万円 / 下段：構成比）

	2018年12月期末	2019年12月期末		
			前年増減額	主な増減要因
流動資産	12,326 (82.3%)	18,538 (87.9%)	6,211	現金及び預金 +6,318 (現金及び預金残高 17,946)
固定資産	2,653 (17.7%)	2,562 (12.1%)	▲90	
資産合計	14,980 (100.0%)	21,101 (100.0%)	6,120	
流動負債	1,623 (10.8%)	597 (2.8%)	▲1,025	前受金 ▲555 未払金 ▲404
固定負債	2,574 (17.2%)	11,527 (54.6%)	8,952	新株予約権付社債 +9,000
負債合計	4,197 (28.0%)	12,124 (57.5%)	7,926	
純資産合計	10,782 (72.0%)	8,976 (42.5%)	▲1,805	当期利益 ▲4,410 新株発行 +2,870
負債・純資産合計	14,980 (100.0%)	21,101 (100.0%)	6,120	

Three horizontal lines of varying colors (orange, red, yellow) stacked vertically on the left side of the page.

参考資料

会社概要

会社情報

会社名	株式会社へリオス 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	128億22百万円(2019年12月末時点)
所在地	東京都港区浜松町2-4-1 世界貿易センタービル15階
従業員数	109名(2019年12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
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）
子会社	・ Healios NA, Inc. （2018年2月設立。米国子会社） ・ 株式会社器官原基創生研究所 （2018年6月設立。臓器原基の研究開発に関する子会社）

Management
経営陣



<p>成松 淳</p> <p>会計士 ヘルスケア・ITベンチャーの社外役員を重任</p>	<p>リチャード キンケイド</p> <p>執行役CFO</p> <p>投資ファンド Nezu Asia Capital Management 経営</p>	<p>デイビッド スミス</p> <p>執行役 生産領域管掌</p> <p>ロンザ社にて細胞製品製造における豊富な経験</p>	<p>マイケル アルファント</p> <p>連続起業家 Fusion Systems, CEO ACCJ名誉会頭</p>	<p>グレッグ ボンフィリオ</p> <p>弁護士 Proteus, LLC創業パートナー（再生医療への投資）</p>	<p>松田 良成</p> <p>弁護士 弁護士法人漆間法律事務所 所長</p>	<p>樫井 正剛</p> <p>元アステラス製薬 監査役</p>					
<table border="1"> <tbody> <tr> <td data-bbox="901 1149 1166 1316"> <p>澤田 昌典</p> <p>執行役副社長CMO (Chief Medical Officer)</p> <p>医師、医学博士、MBA</p> </td> <td data-bbox="1166 1149 1437 1316"> <p>鍵本 忠尚</p> <p>代表執行役社長CEO 取締役</p> <p>医師、ファウンダー</p> </td> <td data-bbox="1437 1149 1707 1316"> <p>田村 康一</p> <p>執行役 研究領域管掌</p> <p>元アステラス米国 研究所長 免疫抑制研究に精通</p> </td> <td data-bbox="1707 1149 1977 1316"> <p>西山 道久</p> <p>執行役 開発領域管掌</p> <p>アステラス製薬にてタクロリムス開発</p> </td> <td data-bbox="1977 1149 2226 1316"> <p>安倍 浩司</p> <p>執行役 人事総務領域管掌</p> <p>医薬品・医療機器業界にて30年以上 人事領域に従事</p> </td> </tr> </tbody> </table>							<p>澤田 昌典</p> <p>執行役副社長CMO (Chief Medical Officer)</p> <p>医師、医学博士、MBA</p>	<p>鍵本 忠尚</p> <p>代表執行役社長CEO 取締役</p> <p>医師、ファウンダー</p>	<p>田村 康一</p> <p>執行役 研究領域管掌</p> <p>元アステラス米国 研究所長 免疫抑制研究に精通</p>	<p>西山 道久</p> <p>執行役 開発領域管掌</p> <p>アステラス製薬にてタクロリムス開発</p>	<p>安倍 浩司</p> <p>執行役 人事総務領域管掌</p> <p>医薬品・医療機器業界にて30年以上 人事領域に従事</p>
<p>澤田 昌典</p> <p>執行役副社長CMO (Chief Medical Officer)</p> <p>医師、医学博士、MBA</p>	<p>鍵本 忠尚</p> <p>代表執行役社長CEO 取締役</p> <p>医師、ファウンダー</p>	<p>田村 康一</p> <p>執行役 研究領域管掌</p> <p>元アステラス米国 研究所長 免疫抑制研究に精通</p>	<p>西山 道久</p> <p>執行役 開発領域管掌</p> <p>アステラス製薬にてタクロリムス開発</p>	<p>安倍 浩司</p> <p>執行役 人事総務領域管掌</p> <p>医薬品・医療機器業界にて30年以上 人事領域に従事</p>							

神戸研究所

神戸の従業員数 81名（2019年12月時点）
研究部/品質管理部 / 製造部/
プロジェクト推進部 / 開発部

Ph.D. 取得者 30名以上



関連会社：サイレジエン

大日本住友製薬との合併会社
SMaRT内の施設を賃借した「大阪工場」を2018年に開設
iPS細胞由来RPE製品製造体制の準備中

再生医療の早期実現を目指し、2017年にニコンと締結した業務・資本提携契約を拡大
ニコンに対し、無担保転換社債型新株予約権付社債を割り当て、40億円を調達

業務提携の詳細

ヘリオス：再生医療分野における新規シーズの探索・開発を推進
ニコンが進めている細胞受託製造業務（下図）の推進に協力
当社が開発を進めている複数のパイプラインについても、
ニコンでの製造に関して幅広く協議を開始

ニコン： 製造受託・画像評価の観点から支援

HLCM051製造体制



提携の経緯

- 2013
ニコンの画像解析技術を用いた研究開発及び事業化検討を開始
当社株式50万株を割当、5億円の出資を受ける
- 2017
再生医療分野における業務・資本提携
当社株式1,037,400株を割当、20億円の出資を受ける
- 2017
ニコン・セル・イノベーションがHLCM051の商用生産に向けた受託生産契約を締結
- 2019
ニコンとの業務・資本提携契約を拡大
当社無担保転換社債型新株予約権付社債を割り当て、40億円を調達

2019年7月、ニコンとの業務・資本提携の拡大と同時に海外募集による資金調達を実施
手取金概算計約116億円を調達

資金調達の概要

海外募集による新株式発行	
発行株式数	1,948,100株
払込金額の総額	2,833,316,640円

海外募集による2022年満期ユーロ円建取得条項付転換社債型新株予約権付社債の発行	
発行総額	50億円
転換価額	1,771円 * 但し一定の場合調整される
償還期限	2022年7月26日
潜在株式数 (注1)	2,823,263株 (5.51%)

ニコンに対する第2回無担保転換社債型新株予約権付社債の発行	
発行総額	40億円
転換価額	2,037円
利率及び償還期日	年率1.0% 2024年7月29日
潜在株式数 (注1)	1,963,672株 (3.83%)

(注1) 潜在株式数の比率は、今回発行する新株予約権付社債に係る新株予約権がすべて当初転換価額で行使された場合に新たに発行される株式数を、2019年6月30日現在の発行済株式総数（自己株式を除く。）に本海外募集による新株式発行により増加した普通株式数1,948,100株を加えた51,232,352株で除した数値です。

資金使途

資金使途	金額 (諸経費を差し引いた手取り概算)
HLCM051開発費用	約30億円
新規シーズ導入に係る費用	10億円
ニコンからの調達	約40億円
パイプライン開発費用 (新規シーズ導入を含む)	約35億円
ファンド出資及び 設立費用	約25億円
運転資金	約16億円
海外募集による調達	約76億円

企業体

iPSC 再生医薬品分野

体性幹細胞再生医薬品分野

2011	・ 会社設立		
2012	・ 東京事務所開設		
2013		・ 理化学研究所と特許実施権許諾契約締結 大日本住友製薬と共同開発契約締結	
2014		・ 横浜市立大学とヒト臓器原基に関する 共同研究を開始	
2015	・ 東証マザーズ上場		
2016		・ ユニバーサルドナーセルの研究開始	・ AthersysよりHLCM051（脳梗塞）導入 ・ 脳梗塞急性期の治験開始
2017	・ ニコンとの業務・資本提携 化合物医薬品分野の事業譲渡		
2018	・ 米国にHealios NA設立 (株) 器官原基創生研究所設立	・ 米国眼科研究所（NEI）と共同研究開発 契約を締結 ・ サイレジェンがSMaRTに製造施設を設立	・ Athersysへの戦略的投資・提携拡大 HLCM051（ARDS）導入 ・ ARDSの治験開始
2019	・ ニコンとの業務・資本提携拡大	・ 大日本住友製薬との共同開発契約変更	
2020		・ 遺伝子編集NK細胞（HLCN061） の自社開発の発表	

希少疾病とは、患者数が少なく、症状に対する直接的な治療法が存在しない疾患のこと

【希少疾病指定の基準】

1. 対象患者数が日本において5万人未満
2. 医療上の必要性
 - ・ 重篤な疾病を対象し、医療上とくに必要性が高いもの
 - ・ 代替する医薬品・医療機器・再生医療等製品又は治療法がない
 - ・ 既存の医薬品・医療機器・再生医療等製品と比較して著しく高い有効性又は安全性が期待される
3. 再生医療等製品を使用する理論的根拠があり、その開発に係る計画が妥当であると認められるとき

【希少疾病の指定をうけると】

- ・ 開発に係る経費の負担を軽減するための助成金の交付
- ・ 税制措置、助言や相談の優先や優先審査
- ・ 再審査期間の延長（10年）

ARDSも年間発症率7,000～12,000人と言われ希少疾病にあたります。

条件及び期限付き承認制度では治験期間・症例数は大幅に減少
条件及び期限付き承認時から保険収載される

再生医療等製品に特性に配慮した制度導入

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



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、当社は、その正確性または完全性を保証するものではありません。また、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いません。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。



Healios

「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
コーポレートコミュニケーション室

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