



2024年8月8日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 へ り オ ス
代 表 者 名 代 表 執 行 役 社 長 C E O 鍵 本 忠 尚
(コード番号：4593 東証グロース)
問 合 せ 先 執 行 役 C F O リ チャ ード ・ キ ン ケ イ ド
(T E L : 0 3 - 4 5 9 0 - 8 0 0 9)

ARDS 治療薬開発における今後の計画について —米国 FDA とのグローバル第 3 相試験開始に向けた協議と 日本における条件及び期限付承認申請の方針—

当社は、体性幹細胞再生医薬品 MultiStem[®]*1 を用い、肺炎を原因疾患とした急性呼吸窮迫症候群 (ARDS) *2 を対象とした治療薬の開発を進めております。2024 年 2 月 2 日に「[体性幹細胞再生医薬品 HL051 を用いた ARDS を対象とする日本における治験の開始について](#)」にてお知らせの通り、当社は日本におきまして 2024 年 1 月に第 3 相試験を開始しておりますが、現在米国を中心としたグローバル開発について検討を進めており、2024 年 9 月に FDA (Food and Drug Administration) とグローバル第 3 相試験実施に関する協議を行うこととなりましたので、お知らせいたします。

また、日本におきましては、既に完了した第 2 相試験 (ONE-BRIDGE 試験) *3 の良好な結果と検証試験としてグローバル第 3 相試験を実施することを前提に、条件及び期限付承認を想定した申請に関して、規制当局と相談を進めています。

米国において ARDS を対象疾患とする MultiStem[®]は、FDA より、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に対し迅速承認を可能とする制度である Fast Track (医薬品) 及び RMAT (細胞加工製品) の指定を受けています。

当社は、2023 年 10 月 11 日に「[アサシス社からの ARDS に関するグローバルライセンスの取得及び治験製品の提供に関するお知らせ](#)」にてお知らせの通り、ARDS 治療薬の全世界における開発・販売・製造権ならびに治験実施に必要な治験製品を獲得いたしました。また、2024 年 4 月 4 日に「[アサシス社の実質的全資産を取得](#)」にてお知らせの通り、アサシス社からの資産継承を行い、全世界での ARDS に対する開発権を得ております。このように当社の権利や当社を取り巻く開発状況が変化中、本パイプラインの開発戦略を検討し、従来より米国で実施中の ARDS の治験に関する IND (Investigational New Drug Application: 新薬臨床試験開始申請) を引き継ぐ形で米国を含めたグローバル第 3 相試験を実施するため、プロトコル等について FDA と協議を行います。

具体的な米国での治験計画及び日本での申請につきましては、条件が整いましたら逐次公表させていただきます。

今後の見通し

本計画の進捗による当社 2024 年 12 月期連結業績への現時点での影響はありません。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

*1 MultiStem®

MultiStem®は、健康な成人ドナー骨髄由来の多能性成体前駆細胞（MAPC）から成る当社独自の体性幹細胞再生医薬品です。MultiStem®を使用した脳梗塞急性期や急性呼吸窮迫症候群（ARDS）の治験を実施しています。MultiStem®は、強力な抗炎症作用と免疫調節作用を示すことが示されており、さまざまな病態への応用が可能です。後期臨床試験において数百人の患者で試験され、3D 培養法で一貫して製造されており、複数の適応症において数百人の患者で有効性及び安全性の両方が実証されています。ヘリオスは、脳梗塞急性期、ARDS、外傷に対し、MultiStem®をグローバルに推進してまいります。

*2 急性呼吸窮迫症候群（ARDS）

ARDSは、様々な重症患者に突然起こる呼吸不全の総称で、原因疾患は多岐にわたりますが、およそ1/3は肺炎が原因疾患で、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ます。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が実施されますが、有効な治療薬ははまだ開発されていません。発症後の死亡率は全体の30～58%^{*a}である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ます。現在国内の患者数は年間2.8万人^{*b}と推定されており希少疾患に指定されていますが、米国では26.2万人^{*c}、欧州では13.3万人^{*d}、中国では67万人^{*e}、全世界では110万人以上が罹患していると推定されます。

（出典）

^{*a} ARDS 診断ガイドライン 2016

^{*b} 疫学データの発症率と人口統計による日本総人口を基に当社推定

^{*c} Diamond M et al. 2023 Feb 6. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2023 Jan-. PMID: 28613773 のデータと外務省アメリカ合衆国基礎データによる米国総人口を基に当社推計

^{*d} Community Research and Development Information Service (CORDIS) 2020 7-9

^{*e} song-et-al-2014-acute-respiratory-distress-syndrome-emergingresearch-in-china

*3 ONE-BRIDGE 試験

日本において肺炎由来の ARDS 患者に対して実施した MultiStem®を用いた細胞治療の治験です。プラセボ対照非盲検試験（第2相試験）で、Cohort1（肺炎由来）投与群 20名／プラセボ群 10名、Cohort2（COVID-19 由来）投与群 5名を組み入れました。2021年8月と11月に、本製品投与後90日と180日の評価項目のデータの一部を発表し良好な結果が示されました。