



2024年12月期 第2四半期決算説明資料



Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2024/8/13


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。



事業概況

2024年4月3日（現地時間）資産買収を完了し MultiStem®及びその関連資産を獲得

外部リンク

- MultiStem®に関するアサシス社へのマイルストーン・ロイヤリティ **支払義務が消滅**
- 400件以上の特許を含む**知的財産を取得**

| 主たる資産内容

- **MultiStem®の3つのIND*に関する資産（脳梗塞、ARDS、外傷の全臨床データを含む）**
脳梗塞急性期（第3相MASTERS-2試験）、ARDS（第2相MUST-ARDS試験）、外傷（第2相MATRICS-1試験）
* Investigational New Drug Application：新薬臨床試験開始申請
- **MultiStem®治験薬、及び3D培養製品**
数百例分の治験薬、3Dバイオリアクターで製造されたMultiStem®
- **動物領域のライセンス契約**
犬、猫、馬を中心とした哺乳類への MultiStem®ライセンス契約（米国市場）
- **SIFU技術**
超低温での輸送・保管を可能とする細胞凍結保管装置 SIFU™（Secure Integrated Freezer Unit）

9月 FDAとグローバル第3相試験開始に向けた協議実施

[外部リンク](#)

グローバル第3相試験実施の理由

- 対象患者数が多く組み入れが容易、かつ市場規模も大きい
- 米国においてFDAよりFast Track（医薬品）及びRMAT（細胞加工製品）に指定
 - 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／細胞加工製品に対し迅速承認を可能とする制度
- 開発資金が調達しやすい
 - （子会社ファイナンスを中心とし、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）
 - Healios NAまたは米国にて新規に子会社を設立し、当該子会社にて資金調達を行う予定

国内では条件及び期限付承認申請について規制当局と相談中

- FDAと合意を目指すグローバル第3相試験を、日本における条件及び期限付き承認後の検証試験とする
- 第2相試験（ONE-BRIDGE試験）の良好な結果とグローバル第3相試験の実施を前提に、条件及び期限付承認申請に向け規制当局と相談中

アルフレッサ社（6月5日発表）

[外部リンク](#)

- 当社の取り扱う製品等の流通、販売に関する業務提携基本契約
- 総額16億円の第1回普通社債及び第2回普通社債買取契約

アステラス製薬（6月19日発表）

[外部リンク](#)

- アステラス製薬子会社AIRMとRPE細胞*の製造方法ならびに純化法に関する特許を、日本以外の全世界における本特許の出願国でAIRMに非独占的に許諾するライセンス契約
- 一時金3百万米ドルを7月に受領済、マイルストーンとして最大8百万米ドルをAIRMより受領見込み

*網膜色素上皮（Retinal Pigment Epithelium）細胞

ノーベルファーマ社（6月28日発表）

[外部リンク](#)

- 当社及び当社子会社プロセルキュア社とARDSを対象にMaltiStem®の日本国内における開発販売提携に向けた契約締結予定期限を9月末まで延長
理由：米国での治験実施を含む開発戦略は日本国内における開発承認プロセスにも影響するため、FDAとのグローバル第3相試験に向けた9月の協議の合意内容を踏まえたうえで日本国内での開発戦略を検討・構築するため、本契約締結までの期間を延長する

被検者組み入れ開始

外部リンク

住友ファーマ株式会社と共同開発を進める他家iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞（開発コード：HLCR011）を用いた治療法において、網膜色素上皮裂孔の患者を対象とする第1/2相試験の被検者組み入れを開始

【本臨床試験の概要】

| | |
|-------------------|---|
| 被験製品 | HLCR011：iPS細胞由来網膜色素上皮（RPE）細胞懸濁液 |
| 開発段階 | フェーズ 1/2 |
| 対象 | 網膜色素上皮裂孔を有する患者 |
| 治験デザイン (目標症例数) | Part 1：非遮蔽、非対照（HLA ミスマッチ被験者 1名） Part 2：非遮蔽、ランダム化（投与群、観察群 各群 10名、計 20名） |
| 主要評価項目 | 網膜色素上皮裂孔患者に HLCR011 を網膜下投与したときの安全性 (有害事象の発現者数および割合) |
| 副次評価項目 (有効性) | 視機能評価 |

| | 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) | 骨髄由来間葉系幹細胞 | 日本 | Phase 3 | | | | 国内での治験開始 希少疾病用再生医療等製品 | |
| | | | 骨髄由来間葉系幹細胞 | グローバル (米国) | Phase 2/3 | | | | 米国でのグローバル第3相試験開始に向けFDAと相談予定 Fast Track及びRMAT指定 (米国) *1 | |
| | HLCM051 | 脳梗塞急性期 | 骨髄由来間葉系幹細胞 | グローバル (米国・日本) | Phase 3 | | | | 米国での第3相試験 (MASTERS-2試験) と日本での第2/3相試験 (TREASURE試験) の統合データ解析を行い、グローバル第3相試験検討中 先駆け審査指定制度認定 (日本) Fast Track及びRMAT指定 (米国) | |
| | HLCM051 | 外傷 | 骨髄由来間葉系幹細胞 | 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 | | | | 住友ファーマとの共同開発 (2028年度上市目標) 被験者組み入れ開始 | |

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

| | | | | | | | | | |
|------|---------|---------------------|------------|-------|-----------|--|--|--|--|
| がん免疫 | HLCN061 | 胃がん、中皮腫、 肺がん、肝がん | eNK®細胞 | グローバル | Phase 1/2 | | | | Pre-IND/治験前相談を開始済 IND/治験開始 (2025年度目標) |
| | - | 固形がん | CAR-eNK®細胞 | グローバル | Phase 1/2 | | | | |

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。

収益化への三本の柱

成長のドライバーである米国市場開発を加速し、他資産は収益化を図る

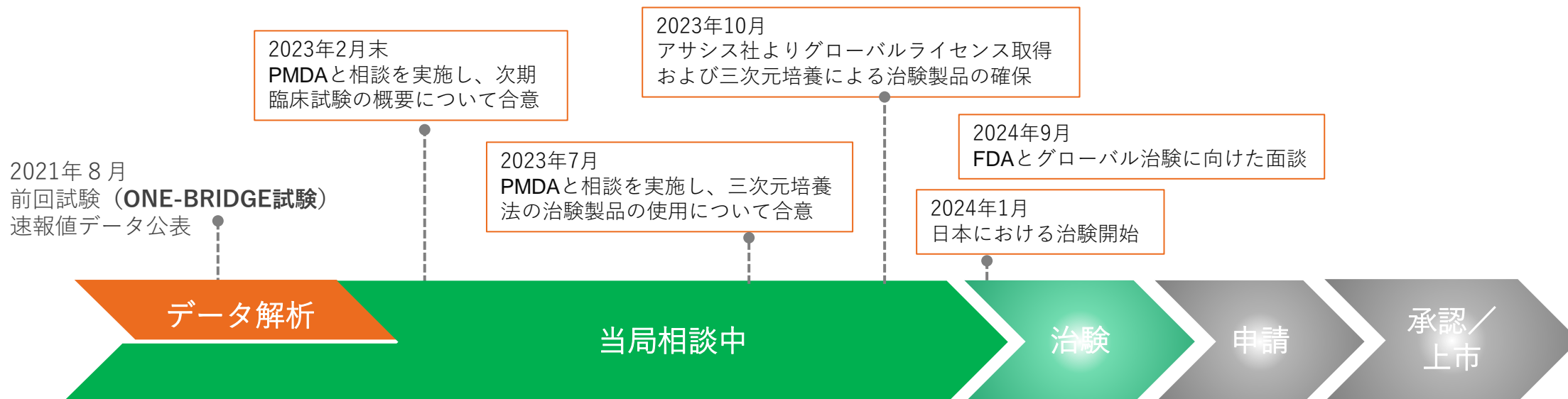
| 医療材料 | 骨髄由来細胞 | iPS細胞 |
|---|---|---|
| <p>HLCM051培養上清</p> <p>Universal Donor Cell iPS細胞株など</p> <p>SIFU技術</p> | <p>ARDS</p> <p>グローバル第3相試験の準備 日本における条件期限付承認</p> <p>脳梗塞急性期</p> <p>グローバル第3相試験の検討</p> <p>外傷</p> <p>米国防総省予算で第2相試験</p> | <p>細胞置換</p> <p>RPE細胞 患者組み入れ開始</p> <p>がん免疫療法</p> <p>遺伝子編集NK細胞治療</p> |
| <p>培養上清： 2024年、共同研究の推進 AND medical groupと契約締結 2025年、外販開始</p> <p>SIFU技術： 日米のパートナー候補と販売協議中</p> | <p>グローバル権利の確保により事業規模拡大</p> <p><u>世界最大市場の米国における、脳梗塞、ARDSという</u> <u>二本の第3相試験開始へ向けて着実に進捗中</u></p> <p>共同開発契約、カーブアウト、助成金の組み合わせで進める</p> | |

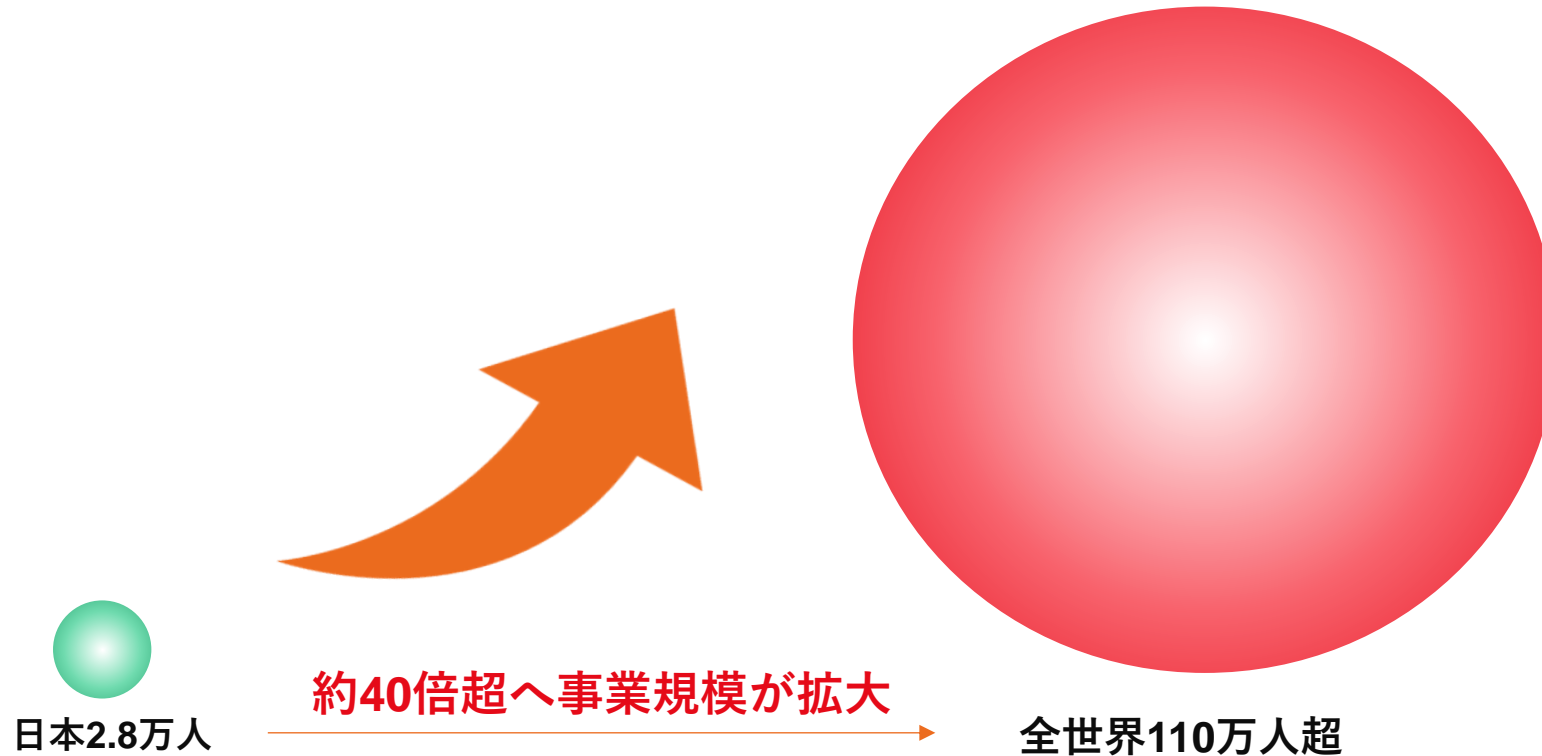
炎症

グローバル第3相試験準備

ARDS

- ・ 米国でのグローバル第3相試験準備（9月にFDA面談実施）
- ・ 第2相試験（ONE-BRIDGE試験）の良好な結果とグローバル第3相試験の実施を前提に、条件及び期限付承認申請に向け規制当局と相談中





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

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

炎症

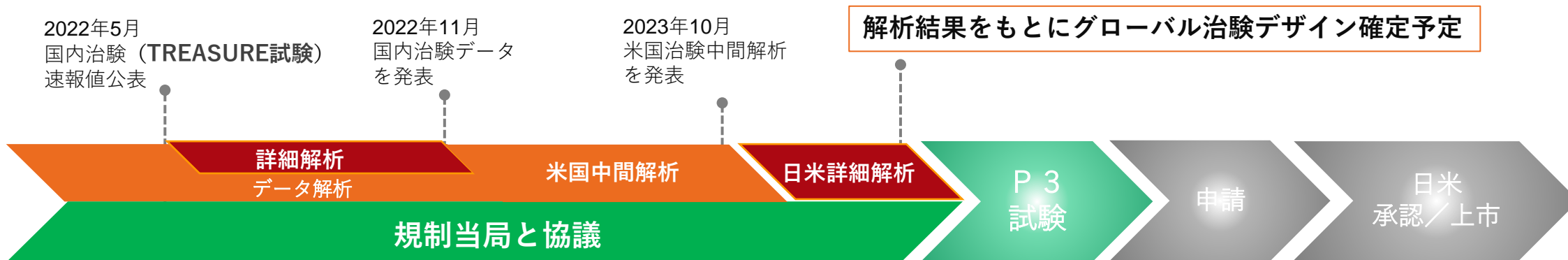
米国での中間解析結果をもとにグローバル第3相試験検討

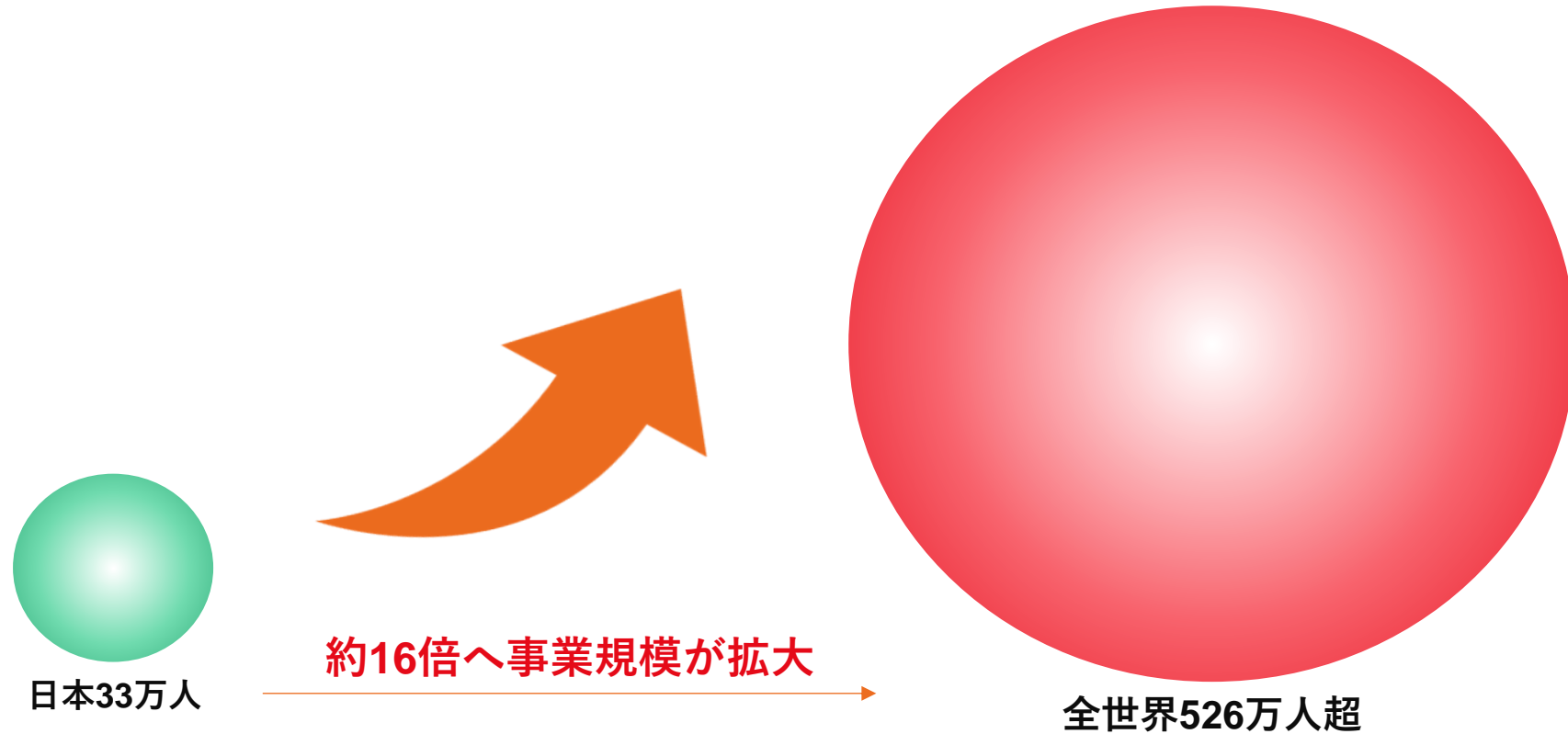
脳梗塞急性期

米国での治験^{*1}の中間解析^{*2}に関するさらなるデータ解析の結果をもとに、トータル400名を超える日・米のデータ（日・米、各々約200名）を分析し、高い確度で日米承認取得が可能な治験デザイン及び開発方針を確定する。

*1 主に米国で実施中の脳梗塞急性期を対象とした第3相試験（名称：MASTERS-2試験）

*2 治験の途中で独立した統計専門家により行われる解析。この結果により必要症例数の再設定が可能





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

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

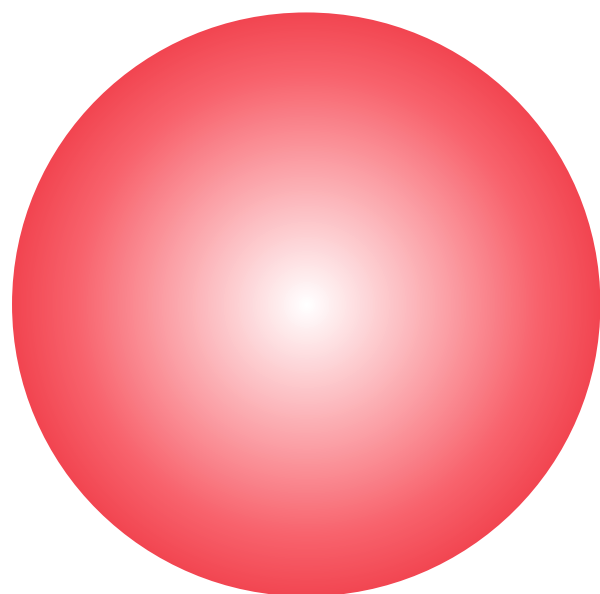
- 交通事故、労働災害、銃創などによる外傷を対象
- **45歳未満の死亡原因の第1位、米国の全死亡原因の第3位、QOLを低下させる原因の第1位***
- MultiStem®による外傷治療は承認後、米軍において大規模に採用される可能性がある

* 出典：the Centers for Disease Control (CDC)

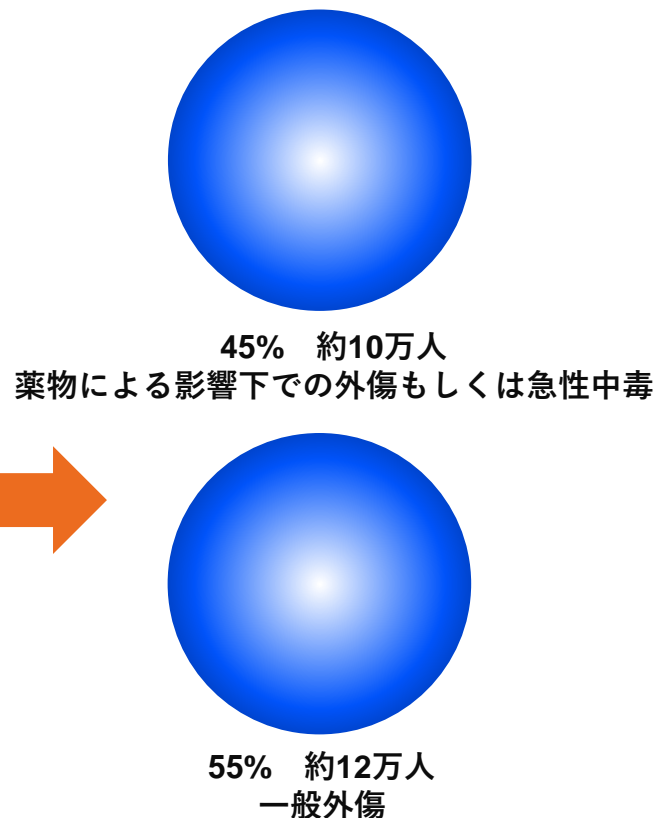
MATRICS-1試験

- 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MultiStem®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



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。

AND medical groupとの共同研究契約

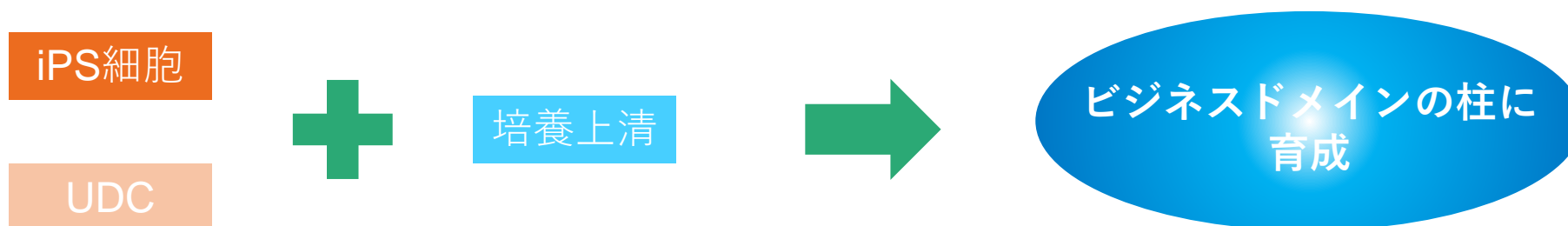
外部リンク

| 契約の概要

- AND medical groupが行う治療法に関して当社が再生医薬品の技術及び原材料を提供する
- 本契約締結により、当社は**一時金として 6,000 万円を受領**。その後、研究の進捗に応じて対価（マイルストーン）を受領し、一時金と合わせ**総額 1 億 8,000 万円を受領**する
- 原材料の製造方法及び製造体制が確立し共同研究の目的が達成された後、原材料を当社から AND medical groupに供給するための**供給契約を締結する予定**

| 再生医療等製品の生産時に発生する医療材料の活用


早期に売上を上げることで、当社の財務体質の強化と共に有効な資源活用を目指す





下線部外部リンク

| 学会 | 発表日／場所 | タイトル | 発表者／所属 |
|--------------------------------------|---------------|---|---|
| 第23回日本再生医療学会総会 | 4月28日／新潟 | <u>ヒト他家 iPS 細胞由来遺伝子導入 NK 細胞（eNK®細胞: HLCN061）の中皮腫に対する効果検証</u> | 松本 成司 先生 兵庫医科大学 呼吸器外科 |
| | | iPS 細胞由来遺伝子導入ナチュラルキラー（NK）細胞：HLCN061 の肝細胞がんに対する抗腫瘍機能評価 | 中村 真由奈 先生 広島大学大学院 医系科学研究科 消化器・移植外科学 |
| 米国癌学会年次総会 (AACR Annual Meeting 2024) | 4月8日／米国サンディエゴ | <u>Verification of the effect of human allogeneic iPS cell-derived gene-engineered NK cells (eNK cells HLCN061) on mesothelioma</u> | 松本 成司 先生 兵庫医科大学 呼吸器外科 |
| Stem Cell Research and Therapy | 7月2日／論文掲載 | <u>Hypoimmunogenic human iPSCs expressing HLA-G, PD-L1, and PD-L2 evade innate and adaptive immunity</u> | 恒吉 法尋、他 株式会社ヘリオス神戸研究所 |
| 第30回日本遺伝子細胞学会学術集会 | 7月16日／横浜 | 固形がん治療を目指したキメラ抗原受容体（CAR）導入遺伝子改変ヒト iPS 細胞からのナチュラルキラー（NK）細胞の作製 | 山田 雅司 株式会社ヘリオス神戸研究所 |



決算概況

前年同期比で研究開発費は0.7億円増加し、当期利益は▲29.5億円となりました。

（単位：百万円）

| | 2023年12月期 第2四半期 | 2024年12月期第2四半期 | | |
|------------------|--------------------|----------------|---------------|---|
| | | | 前年比増減額 | 主な増減要因 |
| 売上収益 | 108 | 508 | 401 | 主にRPE細胞製造方法等のライセンス契約に関する収入により増加 |
| 営業利益 | ▲1,555 | ▲1,331 | 224 | 販売費及び一般管理費の増加 +87 研究開発費の増加 +72 |
| 当期利益 | ▲1,384 | ▲2,951 | ▲1,567 | 金融収益の増加 +155 金融費用の増加 ▲2,025 (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 | 1,047 | 1,119 | 72 | |
| 当社従業員数 (社員のみ) | 63名 | 59名 | ▲4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2四半期（中間期）決算短信 P8をご参照ください。

金融収益・金融費用の内容

当第2四半期連結累計期間において、金融収益**463**百万円、及び金融費用**2,100**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} **431**百万円、及び受取利息**29**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} **1,692**百万円、有価証券評価損**293**百万円、社債利息^{※3} **56**百万円及び新株予約権発行費**55**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**155**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**201**百万円となります。金融費用の前年同期比の増加額は**2,025**百万円であり、主な内訳はデリバティブ評価損^{※2}の増加**1,692**百万円、及び有価証券評価損の増加**293**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.**により設立されたリミテッド・パートナーシップです。

※2 デリバティブ評価損：主に当社が発行しました第**21**回新株予約権及び第**22**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**）の規則に従い非現金損益項目です。

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。

※3 社債利息：当第2四半期連結累計期間に計上した社債利息**56**百万円のうち、**36**百万円は償却原価法により計上した費用であり、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、社債の発行額を全額負債として計上し、発行手数料を費用として計上しておりますが、国際会計基準（**IFRS**）においては、社債の発行額から発行手数料を控除した手取り収入額を計上します。その結果、社債の額面金額と負債として計上される金額とに差異が生じるため、その差額を社債利息として每期償却（費用化）しております。

2024年6月末の流動資産は99億円（前期末比：+22億円）となり、資産合計は178億円となりました。

（単位：百万円 / 下段：構成比）

| | 2023年12月期末 | 2024年12月期末第2四半期 | | |
|----------|--------------------|--------------------|-------|---|
| | | | 前年増減額 | 主な増減要因 |
| 流動資産 | 7,683 (50.7%) | 9,860 (55.4%) | 2,177 | 現金及び現金同等物の増加 +2,172 (現金及び現金同等物の残高 8,894) |
| 非流動資産 | 7,471 (49.3%) | 7,951 (44.6%) | 480 | その他金融資産の増加 +325 |
| 資産合計 | 15,155 (100.0%) | 17,811 (100.0%) | 2,656 | |
| 流動負債 | 5,169 (34.1%) | 7,112 (39.9%) | 1,943 | その他金融負債の増加 +1,969 |
| 非流動負債 | 6,118 (40.4%) | 7,433 (41.7%) | 1,315 | 社債及び借入金の増加 +1,599 |
| 負債合計 | 11,287 (74.5%) | 14,546 (81.7%) | 3,258 | |
| 資本合計 | 3,867 (25.5%) | 3,266 (18.3%) | ▲602 | 当期利益の計上 ▲2,951 新株の発行 +2,181 |
| 負債及び資本合計 | 15,155 (100.0%) | 17,811 (100.0%) | 2,656 | |

（注）財務数値の詳細につきましては、本日公表している第2四半期（中間期）決算短信 P6-7をご参照ください。

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・財務経理部 IR広報グループ

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