



2024年12月期 第3四半期決算説明資料



Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2024/11/13


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

9月6日 FDAとグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS 試験）デザインについて合意

[外部リンク](#)

合意内容

- 主要評価項目：日本で完了した第2相試験（ONE-BRIDGE 試験）と同じくVFD（Ventilator Free Days：投与後28 日間のうち人工呼吸器を装着しなかった日数）
- 症例数：300例及び 400例の各段階の中間解析で統計学的有意と認められた場合に治験完了。最大 550 例
- 三次元培養法によって製造された治験薬を用いる道筋について確認
- 開発資金：子会社ファイナンスを中心とし、ロイヤリティ投資、子会社第三者割当増資などで調達を予定

グローバル治験実施の理由

- 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

10月2日 日本における条件及び期限付承認申請実施と国内第3相試験取り止めを決定

[外部リンク](#)

- ONE-BRIDGE試験の良好な結果と検証試験としてのグローバル第3相試験の実施を前提に申請予定

AND medical groupとの共同研究の進捗と需要予測

[外部リンク](#)

| 共同研究契約の概要

- 2024年4月、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共同研究契約を締結
- 契約締結時に**一時金6,000万円**、2024年Q4に**マイルストーン6,000万円**を受領済。今後研究の進捗に応じて**総額1億8,000万円**を受領予定
- **良好な成分分析結果**を確認
- 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**

| 需要予測

2025年度中に**25リットル／月**の提供開始。順次AND medical group の需要に応じて増産計画

価格：多くの市販品が1ccあたり約1万円から3万円で販売されているが（当社調べ）、AND medical group の求める品質を確認しつつ、最終的な1cc当たりの販売単価が決定される予定

ノーベルファーマ社（9月30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MultiStem®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**2025年1月末まで延長**
理由：米国での治験実施を含む開発戦略及び国内での条件及び期限付承認申請の実施決定は、日本国内における開発承認プロセスにも影響する。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

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
- 基本契約に基づく各個別契約の締結に向け協議中

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
*網膜色素上皮（Retinal Pigment Epithelium）細胞
- 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

	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	承認申請準備中				条件及び期限付承認申請予定 希少疾病用再生医療等製品	
				グローバル (米国)	Phase 3準備中				米国でのグローバル第3相試験デザインについてFDAと合意 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	日本	Phase 2/3			日米の治験データに基づき規制当局と日本における申請方針相談中 先駆け審査指定制度認定 (日本) Fast Track及びRMAT指定 (米国)		
				グローバル (米国)	Phase 3					
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

HLCM051培養上清

Universal Donor Cell
iPS細胞株など

SIFU技術

培養上清：

2024年～共同研究の推進

AND medical groupより

マイルストーン受領

量産準備中（成分解析結果取得）

2025年 外販開始

SIFU技術：

日米のパートナー候補と販売協議中

骨髄由来細胞

ARDS

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申請準備

脳梗塞急性期

日本における申請方針相談中

外傷

米国防総省予算で第2相試験

iPS細胞

細胞置換

RPE細胞

患者組み入れ開始

がん免疫療法

遺伝子編集NK細胞治療

グローバル権利の確保により事業規模拡大

世界最大市場の米国において、ARDSの第3相試験開始へ向け着実に進捗中

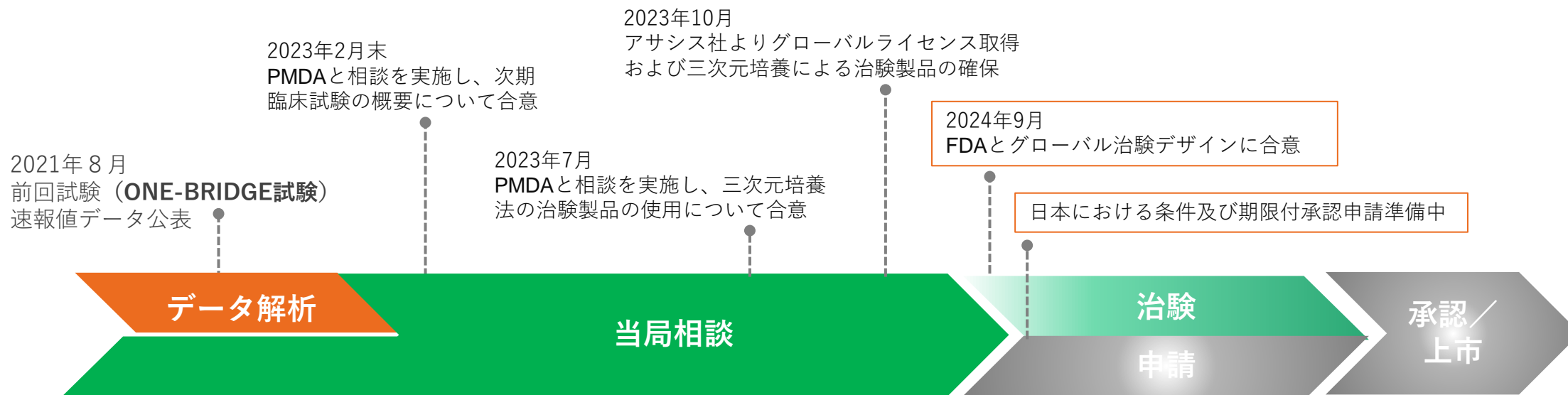
共同開発契約、カーブアウト、助成金の組み合わせで進める

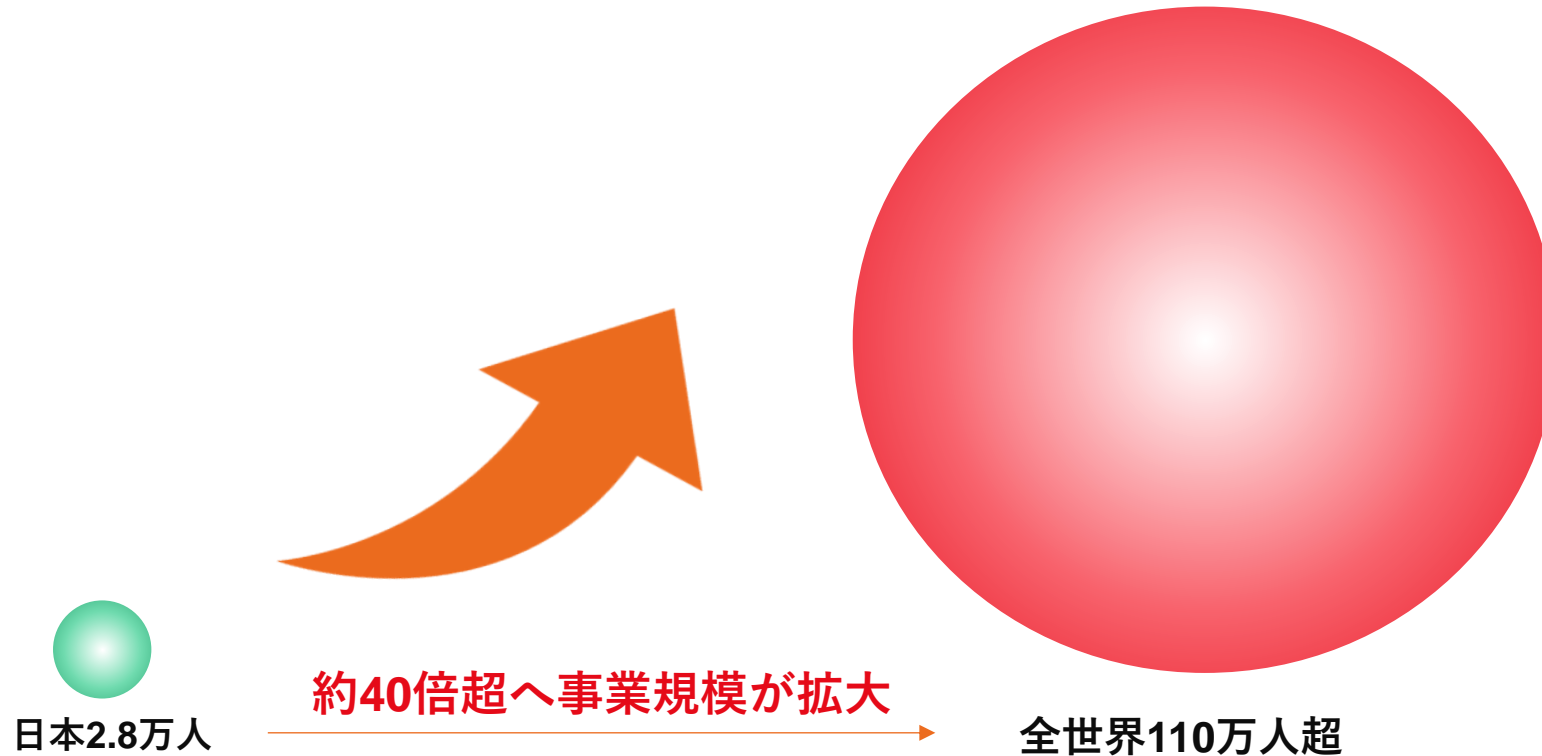
炎症

グローバル第3相試験（REVIVE-ARDS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と試験デザインに合意）
- ・ 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実施を決定





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

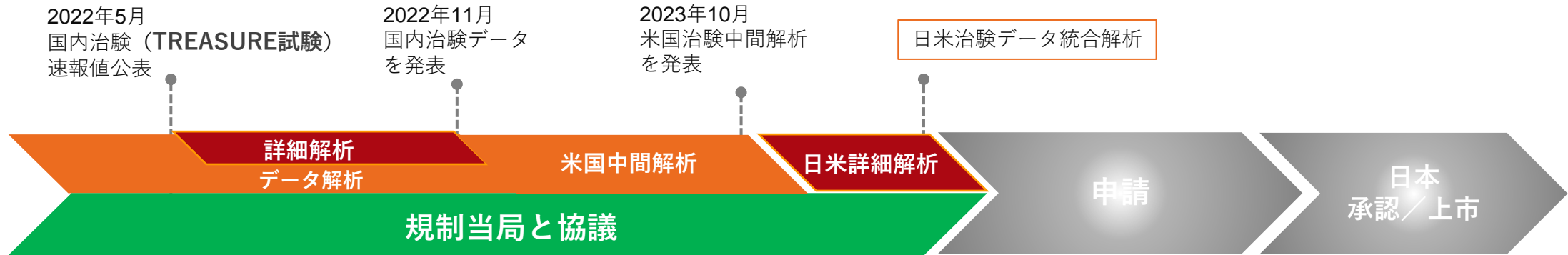
欧州：Community Research and Development Information Service (CORDIS) 2020 7-9

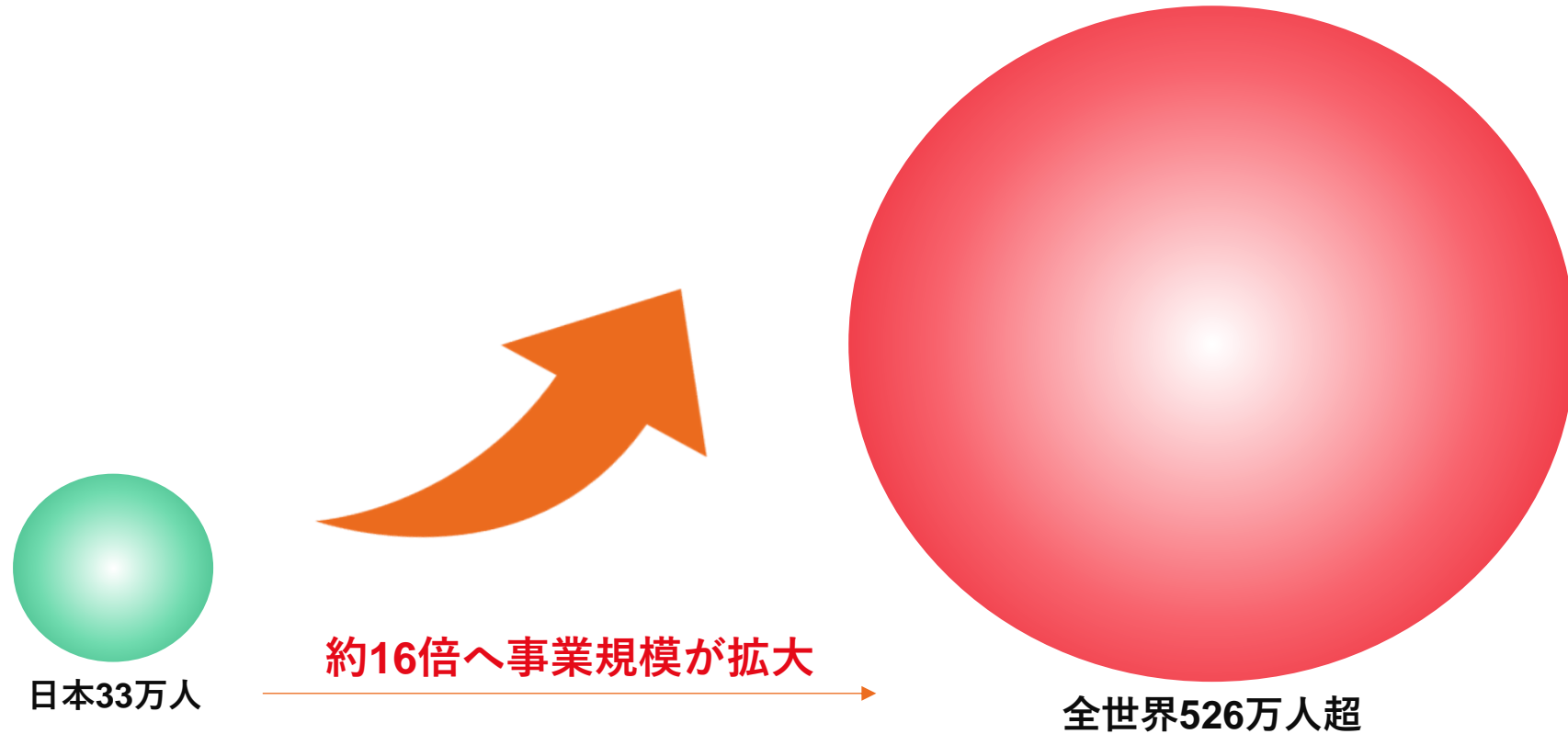
中国：song-et-al-2014-acute-respiratory-distress-syndrome-emerging-research-in-china

炎症

脳梗塞急性期

日米の治験データに基づき規制当局と日本における申請方針相談中





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

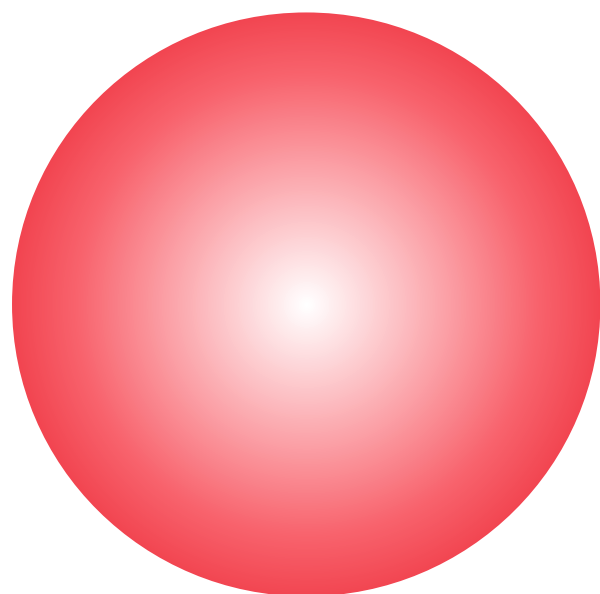
- 交通事故、労働災害、銃創などによる外傷を対象
- **45歳未満の死亡原因の第1位、米国の全死亡原因の第3位、QOLを低下させる原因の第1位***
- MultiStem®による外傷治療は承認後、米軍において大規模に採用される可能性がある

* 出典：the Centers for Disease Control (CDC)

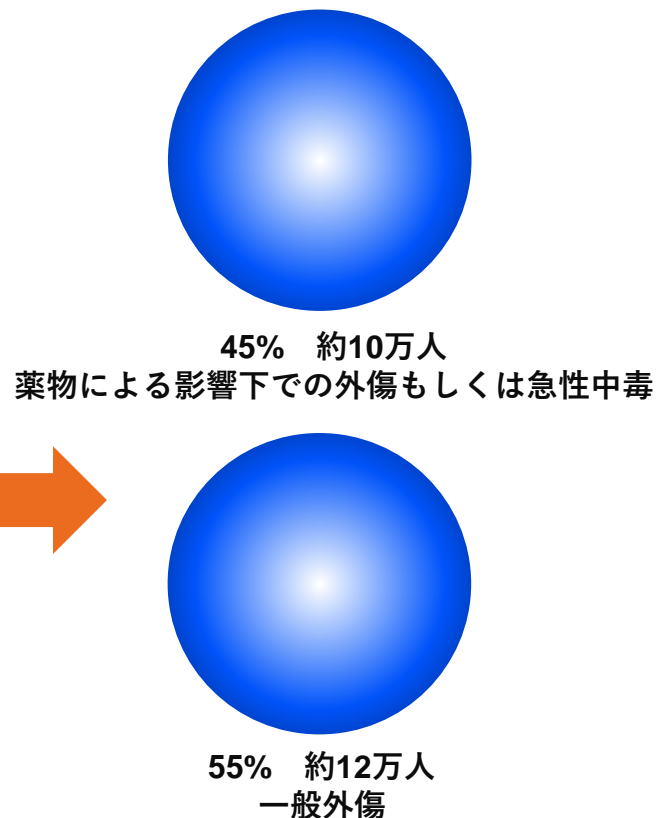
MATRICS-1試験

- 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。



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	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	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	Verification of the effect of human allogeneic iPS cell-derived gene-engineered NK cells (eNK cells HLCN061) on mesothelioma	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	Hypoimmunogenic human iPSCs expressing HLA-G, PD-L1, and PD-L2 evade innate and adaptive immunity	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
第 83 回日本癌学会学術総会	9月19日／福岡	遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の悪性胸膜中皮腫を対象とした新しい治療法の提案	後藤久美子 株式会社ヘリオス神戸研究所
		胃がん腹膜播種モデルに対する遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の抗腫瘍効果	佐藤優香 株式会社ヘリオス神戸研究所
		遺伝子導入 iPS 細胞由来 NK 細胞（HLCN061）の肺がんを対象とした画期的治療への挑戦	西垣扶佐子 株式会社ヘリオス神戸研究所
第 5 回日本石綿・中皮腫学会学術集会	9月28日／岡山	ヒト悪性中皮腫細胞株に対する遺伝子導入 iPSC 由来 NK 細胞（HLCN061）の抗腫瘍効果	後藤久美子 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0.6億円減少し、当期利益は▲44.8億円となりました。

（単位：百万円）

	2023年12月期 第3四半期	2024年12月期第3四半期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上収益	114	542	428	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	▲2,298	▲1,976	323	販売費及び一般管理費の増加 +133 研究開発費の減少 ▲57
当期利益	▲2,076	▲4,475	▲2,399	金融収益の増加 +51 金融費用の増加 ▲2,844 (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	1,531	1,474	▲57	
当社従業員数 (社員のみ)	63名	58名	▲5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3四半期決算短信 P11をご参照ください。

金融収益・金融費用の内容

当第3四半期連結累計期間において、金融収益**431**百万円、及び金融費用**2,957**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 **391**百万円、及び受取利息**39**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 **2,592**百万円、有価証券評価損**181**百万円、社債利息※³ **73**百万円、新株予約権発行費**55**百万円、及び為替差損**51**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**51**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**102**百万円となります。金融費用の前年同期比の増加額は**2,844**百万円であり、主な内訳はデリバティブ評価損※²の増加**2,592**百万円、及び有価証券評価損の増加**179**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.**により設立されたりリミテッド・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3四半期連結累計期間に計上した社債利息**73**百万円のうち、**42**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9月末の流動資産は51億円（前期末比：▲26億円）となり、資産合計は127億円となりました。

（単位：百万円 / 下段：構成比）

	2023年12月期末	2024年12月期末第3四半期		
			前年増減額	主な増減要因
流動資産	7,683 (50.7%)	5,077 (39.8%)	▲2,606	現金及び現金同等物の減少 ▲2,190 (現金及び現金同等物の残高 4,533)
非流動資産	7,471 (49.3%)	7,668 (60.2%)	196	無形資産の増加 +288
資産合計	15,155 (100.0%)	12,745 (100.0%)	▲2,410	
流動負債	5,169 (34.1%)	3,972 (31.2%)	▲1,198	社債及び借入金の減少 ▲3,958 その他の金融負債の増加 +2,870
非流動負債	6,118 (40.4%)	7,035 (55.2%)	916	社債及び借入金の増加 +1,599 Saiseiファンドにおける外部投資家持分の減少 ▲348
負債合計	11,287 (74.5%)	11,006 (86.4%)	▲281	
資本合計	3,867 (25.5%)	1,739 (13.6%)	▲2,129	当期利益の計上 ▲4,475 新株の発行 +2,181
負債及び資本合計	15,155 (100.0%)	12,745 (100.0%)	▲2,410	

（注）財務数値の詳細につきましては、本日公表している第3四半期決算短信 P9-10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/>