



2025年1月15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 東証グロース)
問合せ先執行役 CFO リチャード・キンケイド
(TEL：03-4590-8009)

日本における ARDS 治療薬の条件及び期限付承認申請の状況について (後報：臨床パートに関する相談)

当社は、急性呼吸窮迫症候群 (ARDS*1) 治療薬 (MultiStem®*2) の日本国内での条件及び期限付承認申請 (以下、「当該申請」と言います。) に向け、独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) と当該申請における製造/臨床パートについて相談を進めてまいりました。

本日、臨床パートに関する当局相談を実施し、条件及び期限付承認及び本承認に向けた臨床データパッケージの内容について概ね合意することができましたのでお知らせいたします。

当社は、「[日本における ARDS 治療薬の条件及び期限付承認申請実施の決定と開発戦略について](#)」(2024年10月2日発表)にてお知らせの通り、既に日本国内で完了した第2相試験 (ONE-BRIDGE 試験) と米英で実施した第2相試験 (MUST-ARDS 試験) の良好な結果に加え、検証試験として米国を中心としたグローバル第3相試験 (REVIVE-ARDS 試験*3) を実施することを前提に、ARDS 治療薬 (MultiStem®) の日本国内での条件及び期限付承認申請を行います。

昨年末に確認した承認後の製品の製造法や品質管理等に関する製造パートでの合意 («[日本における ARDS 治療薬の条件及び期限付承認申請の状況について](#)」(2024年12月26日発表)) に続き、上記の当社開発戦略の通り、過去日米において行われた治験データをもって条件及び期限付承認を行い、今後米国を中止に行う第3相試験のデータをもって本承認を判断する方針について、PMDA との合意が得られました。当該申請に向けた準備を進めてまいります。米国におけるグローバル第3相試験開始に向けた準備と合わせ、詳細が決定次第公表してまいります。

今後の見通し

本計画の進捗による当社 2025 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 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、有効な治療薬はい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

*2 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。

米国において脳梗塞急性期及び 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。

*3 REVIVE-ARDS 試験

米国を中心とした ARDS 治療薬 (MultiStem[®]) のグローバル第 3 相試験。2024 年 9 月に FDA (Food and Drug Administration) と協議を行い、本治験のデザインについて、当社の要望に沿ったかたちで合意しており、主要評価項目は、日本で実施した治験 (ONE-BRIDGE 試験) と同じく VFD (Ventilator Free Days : 投与後 (本治験では 28 日間のうち) 人工呼吸器を装着しなかった日数) が採用されました。本治験は、300 例及び 400 例の各段階で中間解析を行い、いずれかの時点で治験薬の有効性が統計学的有意と認められた場合に治験を完了するデザインとなっており、症例数は最大 550 例としています。また、本治験で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も確認しています。