

2024年1月17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)

## TREASURE 試験に関する論文が“JAMA Neurology”に掲載 体性幹細胞再生治療薬品 HLICM051 の脳梗塞急性期を対象とする国内試験

当社は、日本国内において脳梗塞急性期を対象とした体性幹細胞再生治療製品 HLICM051\*1 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（試験名称：TREASURE 試験\*2）を実施致しました。この度、本試験結果に関する学術論文が、医学ジャーナル JAMA Neurology\*3 に掲載されましたのでお知らせいたします。

本論文は、TREASURE 試験の試験調整医師である北海道大学総長 寶金清博先生並びに同大学脳神経外科講師 長内俊也先生を中心にまとめられ、全国 48 の試験参加施設、データ安全性モニタリング委員会、画像評価委員会等のご協力により得られた結果です。今回のジャーナルへの掲載は、脳梗塞治療の可能性について TREASURE 試験が学術的にも一定の評価を頂いたことを意味し、今後の新薬実用化に向け更なる前進が示されたものと考えます。

なお、HLICM051 を用いた脳梗塞急性期を対象とした試験では、米国・欧州で [Athersys, Inc.](#) がプラセボ対照二重盲検第Ⅲ相試験（試験名称：MASTERS-2 試験）を実施し、試験中間段階でのデータの解析を行いました。今後は、独立した統計専門家によるさらなるデータ解析を行うこととなっており、当社はその結果を待ち、今後の対応を検討する予定です。

本件に関して、2024年12月期業績に対し現時点で確定した影響はありません。今後開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせ致します。

### 【論文】

英文タイトル：[Allogeneic Stem Cell Therapy for Acute Ischemic Stroke -The Phase 2/3 TREASURE Randomized Clinical Trial-](#)

掲載誌：[JAMA Neurology](#)

DOI: 10.1001/jamaneurol.2023.5200

本件に関する北海道大学からの発表は、同大学病院の[プレスリリース](#)をご覧ください。

以上

### \*1 HLICM051

HLICM051 は、日本国内における体性幹細胞再生医薬品の開発パイプラインです。当社は2016年1月に、米国のバイオベンチャー企業 Athersys, Inc. と、同社の開発する幹細胞製

品 MultiStem®を用いた脳梗塞急性期に対する再生医療等製品の国内での開発・販売に関する独占的なライセンス契約を締結し、本パイプラインを導入いたしました。さらに2018年6月に同社との提携を拡大したことにより、日本におけるARDSに対する開発・販売ライセンスを取得し開発を開始、現在その対象地域を全世界に拡大しています。

#### \*2 TREASURE 試験

本試験は、中程度から重度の脳梗塞患者（登録時の神経症状障害度の指標であるNIHSSスコアが8から20）を対象とし、発症後18時間から36時間以内にHLCM051またはプラセボの単回静脈内投与を行いました。本試験には、48の医療機関が参加し、206名の患者に投与されました。

#### \*3 JAMA Neurology

JAMA Neurologyは、神経疾患の患者をケアする医師や、正常および病気の神経系の構造と機能に関心のある人々のための国際的な査読誌です。Archives of Neurology & Psychiatryとして1919年に創刊され、1959年に2つの独立した学術誌、Archives of NeurologyとArchives of General Psychiatryとなりました。2013年にはそれぞれJAMA NeurologyとJAMA Psychiatryに名称が変更されています。

学術雑誌が各分野内でもつ相対的な影響力の大きさを測る指標の一つに、インパクトファクターがありますが、JAMA Neurologyは29.9と非常に高く、同誌に掲載された論文は学術的価値が高く評価されたことを示しています。

#### ■株式会社ヘリオスについて

再生医療は、世界中の難治性疾患の罹患者に対する新たな治療法として期待されている分野であり、製品開発・実用化へ向けた取り組みが広がり、近い将来大きな市場となることが見込まれています。ヘリオスは、iPS細胞（人工多能性幹細胞）等を用いた再生医薬品開発のフロントランナーとして、実用化の可能性のあるパイプラインを複数保有するバイオテクノロジー企業です。2011年に設立、2015年に株式上場（マザーズ-現東証グロース:4593）し、再生医薬品の実用化を目指して研究開発を進めています。独自の遺伝子編集技術を用いて免疫拒絶のリスクを低減する次世代iPS細胞、ユニバーサルドナーセル（UDC: Universal Donor Cell）を作製し、がん免疫領域、眼科領域、肝疾患等において、iPS細胞技術を用いた新たな治療薬の創出のための取り組みを進めています。iPS細胞由来の再生医療等製品としての第一候補であるHLCN061は、固形がんに対する殺傷能力を遺伝子編集により強化した次世代のNK細胞（eNK®細胞）治療薬です。また、体性幹細胞再生医薬品を用いて日本国内における脳梗塞急性期および急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に関する治験を実施し、申請に向け規制当局との協議を進めています。

<https://www.healios.co.jp/>

本件に関するお問合せ先

IR・財務経理部 ir@healios.jp