

2025年1月6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)

D.J. Skelton 氏の当社顧問就任に関するお知らせ

当社は、2025年1月5日付で、前米国国防総省長官補佐官付特別補佐官（厚生関係）である、D.J. Skelton 氏が当社顧問に就任したことをお知らせいたします。

記

1. 顧問就任の理由

当社は、「米国 FDA との ARDS グローバル第3相試験デザインに関する合意について」（2024年9月9日発表）にてお知らせの通り、米国を中心とした急性呼吸窮迫症候群（ARDS*1）治療薬（MultiStem®*2）のグローバル第3相試験（治験名称: REVIVE-ARDS 試験*3）の実施について FDA（Food and Drug Administration）と合意し、試験開始に向けた準備を進めております。また、体性幹細胞再生医薬品及び iPSC 再生医薬品の全世界での上市に向けた開発推進のため、米国での協業、ベンチャーキャピタル並びに政府補助金の活用等に向けた活動を展開しています。

D.J. Skelton 氏は、陸軍士学校であるウェストポイントを卒業後、アフガニスタンにて従軍中に負傷しながらも一命を取り留め、その後、米国陸軍で中隊長や、外国地域担当官（中国）の任務を経て、国務長官アドバイザーや、国防総省長官補佐官の特別補佐官（厚生関係）を歴任しています。D.J. Skelton 氏は自身が被弾し瀕死の外傷（米国において第2相試験（MATRICS-1 試験*4）を実施中）並びに ARDS で苦しんだことから、当社が開発を進めている MultiStem®の必要性について身をもって実感しております。

このようは経歴と人脈を有する D.J. Skelton 氏を当社の顧問としてお招きし、当社のグローバルでの医薬品開発の推進、特に米国における政府との交渉や、今後の治験において治験実施医療施設との連携の推進等において当社活動の推進に尽力いただく方針です。

2. 略歴

氏名	略歴
D.J. Skelton	陸軍士学校（ウェストポイント）を卒業後、アフガニスタンにて従軍任務中に攻撃を受け13発を被弾し、左目を失いながらも一命を取り留める。その後、米国陸軍で中隊長、外国地域担当官（中国）の任務を経て、国務長官アドバイザーや米国国防総省長官補佐官付特別補佐官（厚生関係）を歴任。

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。

*4 外傷 (MATRICS-1 試験)

現在テキサス大学ヒューストン・ヘルスサイエンス・センターと米国でトップレベルの外傷センターであるメモリアル・ハーマン・テキサス・メディカル・センターにおいて、米国国防総省とメモリアル・ハーマン基金が資金のほぼ全額を出資して行われている 156 人の患者を対象とした外傷による多臓器不全/全身性炎症反応症候群への MultiStem[®]を用いた無作為二重盲検プラセボ対照第 2 相試験。この研究で治療される外傷は、交通事故、

労働 災害、銃創などによるもので、米国では 45 歳未満の死亡原因の第 1 位であり、QOL（生活の質）を低下させる原因の第 1 位でもあります。MultiStem®による外傷治療は、米軍において大規模に採用される可能性があります。

本件に関するお問い合わせ先
IR 広報部 ir@healios.jp