



2025年12月期 第1四半期決算説明資料

Company

株式会社ヘリオス（東証グロース：4593）

Date

2025/5/13

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

- **ARDS治療薬**の日本国内での条件及び期限付承認の申請
- **ARDS治療薬**の米国を中心としたグローバル第3相試験の開始
- **脳梗塞急性期治療薬**の日本国内での条件及び期限付承認の申請
- **培養上清**の本格的出荷及び売上計上

| 2025年度第1四半期（1～3月）の実績

- ARDS治療薬の日本国内での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PMDAと合意し、製造を含めた全パートに合意
- 培養上清に関しAND medical社と供給契約締結、初回分を受注
- Akatsuki社とeNK[®]細胞の共同事業契約およびライセンスオプション契約を締結

| 4月の実績

- ARDS治療薬のグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）への国内被験者組み入れについてPMDAと合意、対面助言完了
- NEDO公募事業に採択され、その方針に従い脳梗塞急性期治療薬について、国内での条件及び期限付承認申請を行う方針を決定（大規模言語モデル（Large Language Model「LLM」）を用いた電子カルテと連携したレジストリを用いて製造販売後調査の実施を前提に）

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
初回供給契約締結
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

骨髄由来幹細胞

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

日本における条件期限付承認申請方針

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

株式会社**RACTHERA***と共同開発

がん免疫細胞療法

遺伝子編集NK細胞治療

株式会社**Akatsuki Therapeutics**が
研究開発を主導

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

ベースコスト（事業オペレーション）

グローバル第三相試験コスト

日本向け（HLCM051）製造委託

*単純なコストではなくて、日本承認後販売する在庫積み増しコストでもある

ワラント行使

単月黒字化予定

培地・化粧品材料 売上

発注受付開始

化粧品向け
出荷開始

フル出荷開始

ARDS(日本)
売上

ARDS(米国)
中間解析提携一時金

1Q
2025

2Q

3Q

4Q

1Q
2026

2Q

3Q

4Q

1Q
2027

2Q

3Q

4Q

12月25日 PMDAと承認後の製品の製造法や品質管理等合意

[外部リンク](#)

- 上市後に使用するマスターセルバンクに関する事項など、当該申請パッケージの製造に関する内容
- 当該申請に向け、商用製造に向けた主要事項

1月15日 PMDAと申請における臨床パートについて合意

[外部リンク](#)

- 日本での承認に向け米国を中心としたグローバル第3相試験（REVIVE-ARDS試験）での臨床評価項目
- 上記試験への日本人組み入れ割合及び製造販売後調査で見るべき臨床評価項目

4月23日 PMDAとの対面助言完了、グローバル第3相試験への国内被検者の組み入れ合意

[外部リンク](#)

- 
- PMDAと**条件及び期限付承認申請及び製造販売後調査**について必要な事項に合意
条件及び期限付承認申請に向けた準備を加速
 - REVIVE-ARDS試験実施に向けた準備を継続
米国を中心としたグローバル治験に実績のある**日本での被験者組み入れが可能**となり、治験の推進加速可能

| 4月23日 国内での条件及び期限付承認申請を行う方針を決定 [外部リンク](#)

- 日本国内において脳梗塞急性期を対象としたHLCM051の有効性及び安全性を検討するプラセボ対照二重盲検2／3相試験（治験名称：TREASURE試験）を実施・完了し、今後のデータの取得・申請方針について規制当局と協議を続けてきた
- 
- PMDAとHLCM051製造販売後調査での調査項目の合意を含めて、条件及び期限付承認申請を目指す（先駆け審査指定制度）

| 方針決定の経緯

- 大規模言語モデル（Large Language Model「LLM」）を用いた電子カルテと連携したレジストリを用いて製造販売後調査を実施する**（年間数百例の症例登録が可能）
- NEDO（国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構）に採択され、当社も参画する公募事業「**日本語版医療特化型LLMの社会実装に向けた安全性検証・実証**」において、上記LLMを構築する
- 脳梗塞レジストリ・データを有する九州大学を中心とした複数医療機関の参画により、脳梗塞患者での医療機関間のデータベース連携における課題を抽出し、事業構想を具体化し、LLMによる被験者データ取得が適切に機能するか検証
- 検証した脳梗塞患者レジストリを稼働し、HLCM051の製造販売後調査におけるHLCM051非投与群のリアルワールドデータを集積
- 当該レジストリでは、条件及び期限付承認後の製造販売後調査の最長期間である7年間で十分に本承認を満たす症例数のデータの蓄積が可能と考えられ、目的とする指標で統計学的優位性を示せる可能性が高いと考える

AI / LLMの急速な進化により、脳梗塞急性期治療薬の条件及び期限付承認に向けた新たな道筋

1. 有効性の傾向・安全性＋承認後検証の新たな道

- LLMシステムを用いた大規模レジストリによる検証が可能に

2. 条件期限付のガイダンス発出

- 条件及び期限付承認に関してガイダンスが発出され、今後さらに規制当局との議論を深め道筋の確認を進める

3. FSRによるバリデーション

- 適応症が重なる脳梗塞で国内最大規模のレジストリ（Fukuoka Stroke Registry「FSR」）が九州大学にあり、LLMシステムのバリデーションが早期に取れる
- FSRの17,000例のデータから通常治療を受けた患者さんの予後が正確かつ大規模に予測可能
- これにより全システムの検証が飛躍的に早まり、上記のアプローチの可能性が生まれた

	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)	骨髄由来体性幹細胞	日本			承認申請準備中			条件及び期限付承認申請に向け、製造／臨床パッケージについてPMDAと合意 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、日本からも被験者組み入れ Fast Track及びRMAT指定 (米国) *1	
	HLCM051	脳梗塞急性期	骨髄由来体性幹細胞	日本			Phase 2/3完了、承認申請相談中			LLMを用いた製造販売後調査実施を条件に条件及び期限付承認申請を目指す 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	骨髄由来体性幹細胞	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			RACTHERA社*3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

*3 住友ファーマ株式会社より再生・細胞医薬事業を承継

がん免疫細胞療法	HLCN061	中皮腫、肺がん、 肝がん、胃がん	eNK®細胞	グローバル						Akatsuki社が研究開発を主導
	—	固形がん	CAR-eNK®細胞	グローバル						

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。

炎症

条件及び期限付承認申請、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（FDAと試験デザイン合意済）
- ・ 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、国内での条件及び期限付承認申請準備
- ・ 申請に向けた製造／臨床パッケージ、グローバル第3相試験への国内被験者組み入れについてPMDAと合意

2024年9月
FDAとグローバル治験デザインに合意

2024年12月、2025年1月、2025年4月
PMDAと製造／臨床パッケージ、グローバル
第3相試験への国内被験者組み入れ合意



炎症

国内での条件及び期限付承認申請を行う方針決定

脳梗塞急性期

- ・ 医療特化型のLLMを開発し、電子カルテと連携したデータ収集体制を構築
- ・ PMDAと製造販売後調査での調査項目の合意を含めて協議し、条件及び期限付承認申請を目指す（先駆け審査指定品目）

2025年4月
NEDO公募事業「日本語版医療特化型LLMの社会実装に向けた安全性検証・実証」においてLLM構築を決定

2025年
検証試験としてLLMを用いた電子カルテと連携したレジストリを用いて製造販売後調査を実施する予定



| 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・センターにおいて試験進行中

- 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***
- HLCM051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

- 試験概要：外傷による多臓器不全／全身性炎症反応症候群へのHLCM051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

下線部外部リンク

学会／論文	発表・公開日 ／場所	タイトル	発表者／所属
Regenerative Therapy	2025年1月29日 ／論文掲載	<u>Clinical efficacy of invimestrocel for acute respiratory distress syndrome caused by pneumonia: Comparison with historical data using propensity score analysis</u>	一門和哉先生（済生会熊本病院呼吸器内科部長）他

AND medical 社と培養上清供給契約締結

[外部リンク](#)

| 供給契約の概要

- 初回発注分として 4 億 2,000 万円相当の対象製品を受注。また 2 億円を先払いで受領する（2025年 Q2以降）。
- 今後の発注時期および製品の 出荷量・出荷時期について、AND medical 社と協議のうえ順次決定
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

参考：

2024年より実施中の共同研究における最終マイルストーン達成の対価 6,000 万円を 2025年5 月に受領予定（契約総額 1 億 8,000 万円の内、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）

Akatsuki 社とeNK®細胞の研究・開発推進の共同事業契約／ライセンスオプション契約を締結

[外部リンク](#)

| 共同事業契約

- eNK®細胞の研究開発業務 は、今後Akatsuki社が主導し、当社はAkatsuki社より研究開発業務を受託
- 当社の研究開発資金負担の軽減を見込む。2025 年 2 月までに Akatsuki 社より初回受託金として360 百万円を受領済、2025 年度を通じて約 770 百万円を受領予定

| ライセンスオプション契約

- がん領域を中心とするあらゆる領域における eNK®細胞 についての研究・開発・製造・販売に関するライセンス契約を締結するオプション権を付与
- 対価としてオプション権行使によるライセンス契約の締結を受け、Akatsuki社の株式および新株予約権を取得することで一定の合意。発行の詳細等については、今後両社で協議のうえ決定
- オプション権行使後のライセンス契約下での将来的な開発・承認マイルストーンや売上高に応じたロイヤルティを受領すること等の条件について合意

| 本協業のメリット

- 当社はHLCM051の承認と販売に集中
- 将来的に他のクライアントへのサービス提供を促進し、新たなビジネス機会の獲得



決算概況

前年同期比で研究開発費は2.0億円減少し、当期利益は▲25.6億円となりました。

（単位：百万円）

	2024年12月期 第1四半期	2025年12月期第1四半期		
			前年比増減額	主な増減要因
売上収益	10	38	27	
営業利益	▲1,049	▲744	305	販売費及び一般管理費の減少 +85 研究開発費の減少 +201
当期利益	▲2,421	▲2,562	▲142	金融収益の減少 ▲30 金融費用の増加 ▲343 （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	683	482	▲201	
当社従業員数 （社員のみ）	60名	57名	▲3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1四半期決算短信 P9をご参照ください。

金融収益・金融費用の内容

当第1四半期連結累計期間において、金融収益**273**百万円、及び金融費用**2,108**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 **255**百万円、及び受取利息**18**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 **2,045**百万円、有価証券評価損**24**百万円、及び新株予約権発行費**15**百万円の計上であります。

金融収益の前年同期比の減少額は**30**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の減少**30**百万円となります。金融費用の前年同期比の増加額は**343**百万円であり、主な内訳はデリバティブ評価損※²の増加**609**百万円、及び有価証券評価損の減少**220**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：当社が発行しました第**21**回新株予約権、第**22**回新株予約権及び第**26**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、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。

2025年3月末の流動資産は60億円（前期末比：+17億円）となり、資産合計は157億円となりました。

(単位：百万円 / 下段：構成比)

		2024年12月期末	2025年12月期第1四半期末		
				前年増減額	主な増減要因
	流動資産	4,275 (30.1%)	6,010 (38.3%)	1,734	現金及び現金同等物の増加 +1,791 (現金及び現金同等物の残高 5,463)
	非流動資産	9,916 (69.9%)	9,678 (61.7%)	▲238	その他の金融資産の減少 ▲181
	資産合計	14,191 (100.0%)	15,688 (100.0%)	1,496	
	流動負債	3,350 (23.6%)	5,026 (32.0%)	1,676	その他金融負債の増加 +2,050
	非流動負債	8,758 (61.7%)	8,687 (55.4%)	▲71	Saiseiファンドにおける外部投資家持分の減少 ▲72
	負債合計	12,108 (85.3%)	13,713 (87.4%)	1,605	
資本合計		2,084 (14.7%)	1,975 (12.6%)	▲109	当期利益の計上 ▲2,562 新株の発行 +1,918
負債及び資本合計		14,191 (100.0%)	15,688 (100.0%)	1,496	

(注) 財務数値の詳細につきましては、本日公表している第1四半期決算短信 P7-8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広報部

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