



事業計画及び成長可能性に関する事項

2026年3月時点

Heartseed株式会社（東証グロース 219A）

I	会社概要	P3
II	巨大な心不全領域に挑む Remuscularization（心筋補填療法）	P13
III	先行開発品「HS-001」における治験進捗と事業戦略	P22
IV	次世代開発品「HS-005」の開発進捗	P32
V	競争優位にある市場ポジション	P36
VI	コア技術で構成するプラットフォームテクノロジーの領域展開	P38
VII	財務状況とIPOによる資金調達の使途	P41
VIII	今後の成長戦略と拡大可能性	P47
IX	リスク情報	P49
X	Appendix	P51

| 会社概要

再生医療で心臓病治療の扉を開く

Open the Door to the Treatment of Heart Disease through Regenerative Medicine

根治が難しいとされる心不全、その患者さんに最新の「心筋再生医療」をお届けし、再生医療で心臓病治療の扉を開くことが私たちのミッションです。



私たちが作製する心筋球（心筋細胞を球状の微小組織にしたもの）がフウセンカズラ（英名HEARTSEED）の種の白い模様が心臓の形をしていることと、心筋梗塞などで壊死してしまった部位に、その心筋球が心臓の種（heart seed）となることで、重症心不全の患者さんを救う事を願って命名しております。



Heartseed概要 (2026年3月末時点)

ミッション: 「再生医療で心臓病治療の扉を開く」

設立	2015年11月
所在地	東京都港区
銘柄コード	219A
従業員数	44名
資本金	1,327百万円 (2025年12月末時点)
事業内容	iPS細胞を用いた心筋再生医療の研究・開発
経営陣	
代表取締役社長 兼 執行役員CEO	福田 恵一
取締役 兼 執行役員COO	安井 季久央
取締役 兼 執行役員CFO	平野 達義
執行役員 兼 研究開発本部長	河村 仁
執行役員 兼 製造技術開発部長	高橋 信之



事業・技術



ターゲット患者層

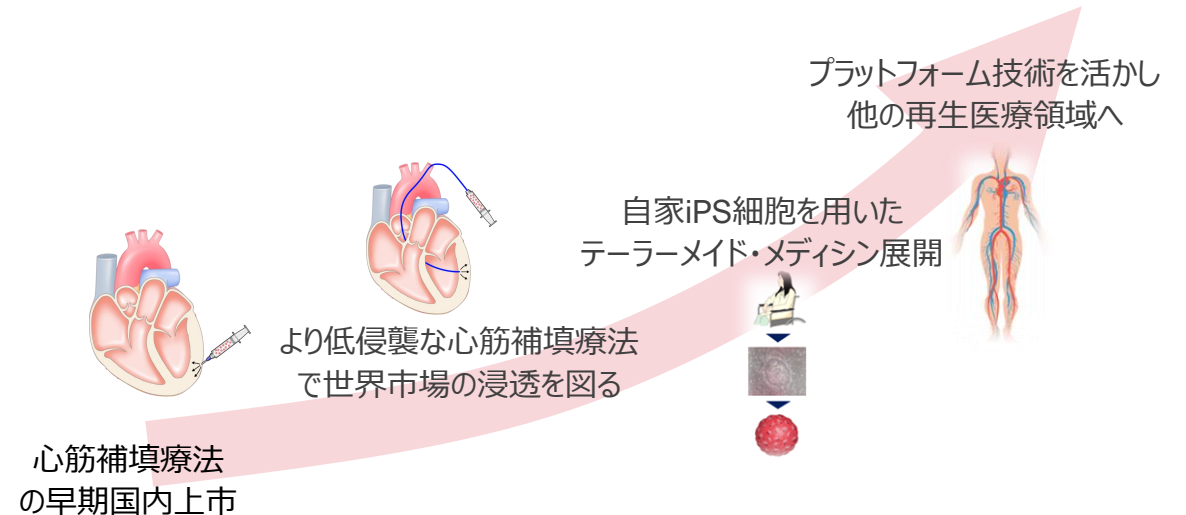


中長期戦略

世界初の心筋補填療法 “Remuscularization”

を可能にする高純度心筋細胞・心筋球作製、純化精製技術、等

世界**6,500万人**※1の心不全患者。ターゲット患者層は**約700万人**※2

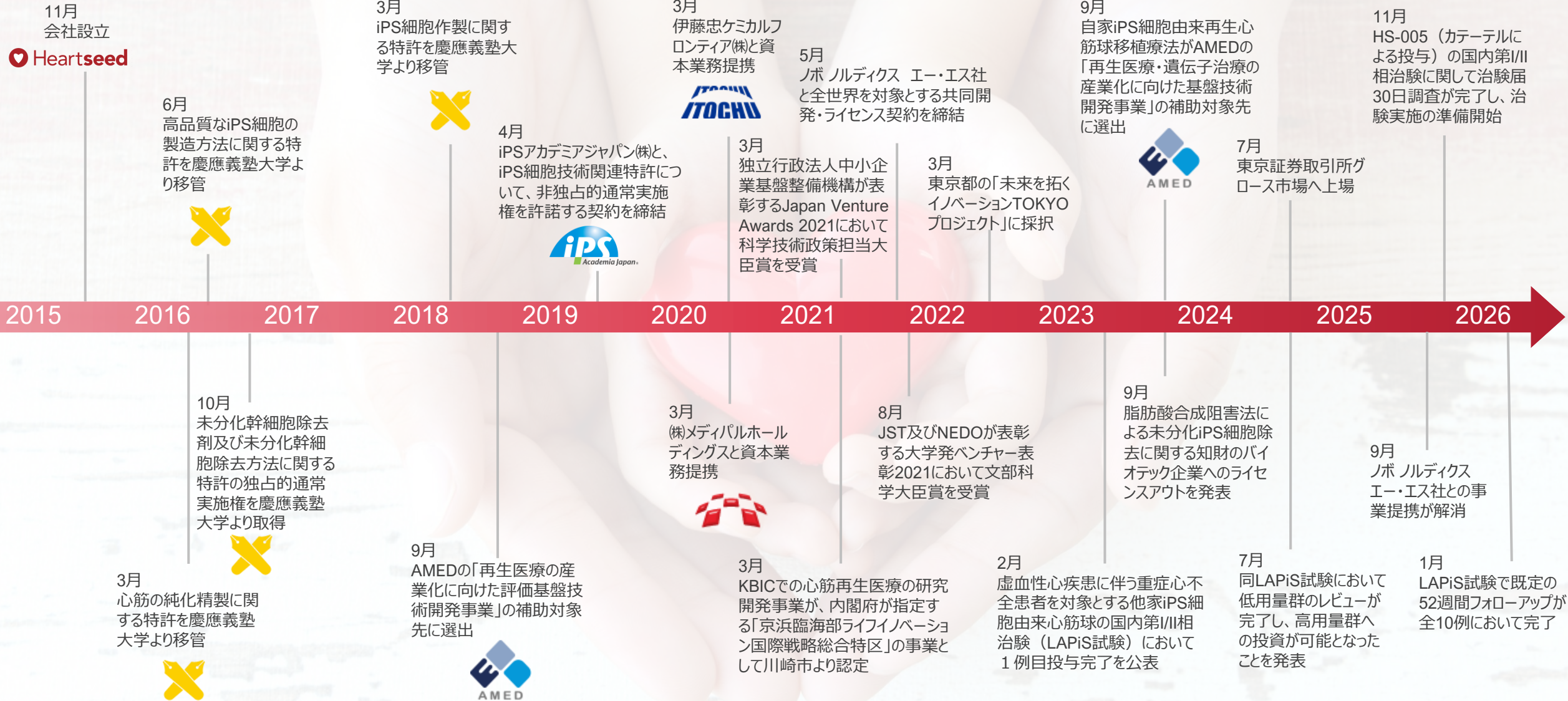


※1 : N.L. Bragazzi et al., ESC European Journal of Preventive Cardiology 2020

※2 : NYHA分類におけるIII-IVを示す (<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33760037/>)

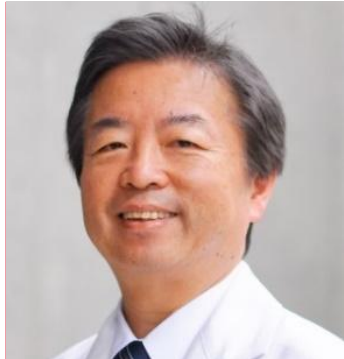


沿革



Heartseed株式会社 創設科学者/代表取締役社長

30年以上にわたり心筋再生領域を牽引してきたトップランナー。世界最先端のディープテックの社会実装を目指す。



福田 恵一, MD., PhD, FACC
Heartseed創設科学者／代表取締役社長

2010- 慶應義塾大学医学部 循環器内科教授
2015- Heartseed社創設、代表取締役社長就任



世界初となる実績

- 1999年、**世界で初めて骨髄間葉系幹細胞から心筋分化に成功**
- 2005年、心筋分化誘導因子を特定
- 2008年、世界で初めてH₂分子により虚血再灌流障害を抑制
- 2010年、**一滴の末血リンパ球からiPS細胞の樹立に成功**
- 2013年、**メタボリックセレクションによる心筋純化に成功**
- 2022年、重症心不全症例への**心筋球移植を世界で初めて実施**

略歴

1987年：慶應義塾大学大学院医学研究科
（循環器内科学）修了
1987年：慶應義塾大学助手
1991年：国立がんセンター研究所に国内留学
1992年：米国ハーバード大学ベイスラエル病院
分子医学教室留学
1994年：米国ミシガン大学心血管研究センターに留学
1995年：慶應義塾大学医学部 循環器内科助手
1999年：慶應義塾大学医学部 講師
2005年：慶應義塾大学医学部 **再生医学教授**
2010年：慶應義塾大学医学部 **循環器内科教授**
2015年：Heartseed株式会社設立
2023年：慶應義塾大学名誉教授

主な受賞歴

2002年：日本医師会医学研究助成賞
2004年：日本循環器学会・日本心臓財団佐藤賞
2010年：ベルツ賞
2011年：持田記念学術賞
2012年：井村臨床研究賞
2014年：President's Distinguished Lecture Award (ISHR)
2015年：文部科学大臣表彰科学技術賞
2021年：科学技術政策担当大臣賞(Japan Venture Award)
2021年：文部科学大臣賞(大学発ベンチャー表彰)
2021年：慶應義塾賞
2022年：日本医師会医学賞
2023年：IP BASE AWARDグランプリ賞
2024年：日本再生医療学会功績賞
2025年：日本医療研究開発大賞 スタートアップ賞

心臓病領域治験にて日本で有数の実績

1980年代	ザモテロール（β受容体部分活性化薬） デノパミン（強心薬） OPC-8212（強心薬） カルベジロール（β遮断薬）
1990年代	ビソプロロール（β遮断薬）
2000年代	バルサルタン（アンジオテンシンII受容体拮抗薬） カンデサルタン（アンジオテンシンII受容体拮抗薬）
2010年代	エプレレノン（アルドステロン拮抗薬） イバブラジン（HCNチャネル遮断薬） マシテンタン（エンドセリン受容体拮抗薬） ウプトラビ（選択的IP受容体作動薬） アデムパス（可溶性GC刺激薬）
2020年代	マバカムテン（心筋ミオシン阻害薬）

サイエンスと臨床現場にくわえ、30年に渡る心臓病新薬開発実績からくる知識と経験を活かし、世界初の治療法開発に挑む



リーダーシップ（執行体制）



福田 恵一（医師、医学博士）
代表取締役社長 兼 執行役員CEO

慶應義塾大学医学部卒業。2010年より慶應義塾大学医学部 循環器内科教授。慶應病院での勤務に加え、ハーバード大学、ミシガン大学等に留学。心筋再生医療研究をライフワークに、2015年にHeartseed株式会社設立、代表取締役就任。2026年代表取締役社長 兼 執行役員CEOに就任。



安井 季久央（薬学修士）
取締役 兼 執行役員COO

東京大学大学院薬学修士課程修了後、ペインでの戦略立案業務を経て、Janssenでのポートフォリオマネジメントの他、Abbott/AbbVieではマーケットアクセス部長、事業部長を最年少で歴任。2019年当社取締役COO就任。2026年取締役 兼 執行役員COOに就任。



平野 達義（経済学修士）
取締役 兼 執行役員CFO

ジョンズ・ホプキンス大学経済学修士。日本トイザらスにて取締役CFO、代表取締役副社長を歴任後、UMNファーマでは代表取締役社長として上場を実現。10年以上の上場企業経営経験を持つ。2021年当社管理担当取締役CAO就任。2026年取締役 兼 執行役員CFOに就任。



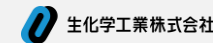
河村 仁（薬学博士）
執行役員 兼 研究開発本部長

金沢大学大学院薬学博士課程終了後、JT・Oncolys・Janssenなどで研究企画・海外開発PL、R&D・事業開発部長に従事。Alexionでは日本PLとして国際治験・承認申請を経験。2019年より研究開発本部副本部長、2026年執行役員 兼 研究開発本部長に就任。



高橋 信之（理工学修士、経営学修士）
執行役員 兼 製造技術開発部長

早稲田大学 大学院理工学研究科修士課程修了後、同大学院経営管理研究科（MOT）修了。生化学工業でCMC研究員として入社後、開発プロジェクトマネジメント、事業開発、研究開発戦略に従事し、CMC研究所室長を歴任。2020年より製造技術開発部長、2026年執行役員 兼 製造技術開発部長に就任。



リーダーシップ（非常勤取締役、社外取締役、監査役）



河西 佑太郎 (MBA)
非常勤取締役

東京大学大学院農学系研究科(遺伝子工学)修了後、ゴールドマン・サックス、ペイン、ユニゾンなどのPE業界を経て、Angel Bridge社を設立し代表を務める。
2015年当社設立。シカゴ大学MBA。

Angel Bridge



金子 健彦 (医師)
非常勤取締役

慶應医学部卒後病院勤務を経て、グローバル大手製薬企業にて日米の臨床開発に従事後、再生医療バイオテックにて再生医療等製品開発や日米の迅速承認制度許可取得をリード。
2020年当社取締役役に就任。



古川 俊治 (医師、医学博士、弁護士、参議院議員)
社外取締役

慶應義塾大学大学院法務研究科助教授、医学部助教授（外科学）法科大学院教授、医学部教授（外科学）、TMIでの弁護士業務などを経て、2007年より参議院議員。
2017年当社取締役就任。オックスフォード大学MBA。



出口 恭子 (MBA)
社外取締役

東京大学法学部卒業後、ペインへ入社。その後、日本GEプラスチックCFO、ヤンセンファーマーケティング本部長、日本ストライカー及びアヅヴィ社長などの要職を歴任。2015年より医療法人社団色空会 最高執行責任者。
2020年当社取締役就任。ハーバード大学MBA。
2024年4月1日付けでPHCHD代表取締役社長就任。



菊川知之
常勤監査役

名古屋大学大学院工学系研究科修了後、アンリツへ入社。アンリツデバイス代表取締役社長、アンリツCTOを含む研究開発分野マネジメント、常勤監査役、取締役常勤監査等委員を歴任。
2018年当社監査役に就任。



藤吉 彰
非常勤監査役

京都大学薬学部卒業後、エーザイへ入社。以降、研開企画部計画グループ部長、広報部IRグループ部長、執行役 コーポレートコミュニケーション・IR担当、取締役（監査委員）、顧問を歴任。
他、栄研化学社外取締役なども務める。
2019年当社監査役就任。



江戸川 泰路 (会計士)
非常勤監査役

慶應義塾大学法学部卒業、太田昭和監査法人（現 EY新日本有限責任監査法人）入所。同法人パートナーなど歴任し、江戸川公認会計士事務所代表へ就任。株式会社産業革新投資機構監査役など他社監査役も務める。

2021年当社監査役就任。



国内外において高い評価

2021年1月

欧州 StartUs Insight誌により心臓血管治療薬を開発するベンチャーの**世界トップ5に選出**



欧州StartUs誌による選出

2021年3月

独立行政法人中小企業基盤整備機構(中小機構)が表彰するJapan Venture Awards(JVA)2021において、**科学技術政策担当大臣賞を受賞**



Japan Venture Award 2021
科学技術政策担当大臣賞を受賞

2021年8月

国立研究開発法人科学技術振興機構 (JST) 及び国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構 (NEDO) が表彰する大学発ベンチャー表彰2021において、**文部科学大臣賞を受賞**

2022年9月

APAC Cell and Gene Therapy Excellence Awards 2022にて、**Most Promising Pipeline (iPSC Therapy)を受賞**

2023年3月

特許庁主催「第4回IP BASE AWARD」**スタートアップ部門グランプリを受賞**



特許庁主催「第4回IP BASE AWARD」
スタートアップ部門グランプリを受賞

2025年1月

第7回**日本医療研究開発大賞 スタートアップ賞**を受賞

2025年4月

令和7年度**知財功労賞 経済産業大臣表彰**を受賞



研究開発・事業に関する対外プレゼンスの向上（実績）

2025年度

2026年度

国内学会



第89回
日本循環器学会
3/28～3/30



第33回
日本心血管インターベン
ション治療学会
7/17～7/19



第29回
日本心不全学会
10/10～10/12



第25回
日本再生医療学会
3/19～3/20



第29回
日本冠動脈外科学会
7/3～7/4



第73回
日本心臓病学会
9/19～9/21



第65回
日本核医学会
11/13～11/15



第90回
日本循環器学会
3/20～3/22

国際学会



CDCM Symposium
2025
2/26



ISCT 2025
5/7～5/10



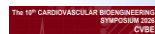
European Society
of Cardiology
8/29～9/1



International Forum On
Medical Innovation of
Cell & Bio Therapy
11/21

KEYSTONE SYMPOSIA

Keystone symposia
1/26～1/29



CVBE Symposium
2025
4/24～4/26



ISHR 2025
5/11～5/14



Summit on the Translation
of PSC-Derived Cardiac
Therapies
11/5～11/6



American Heart
Association
Scientific Sessions 2025
11/7～11/10



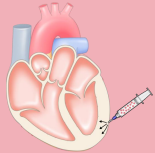
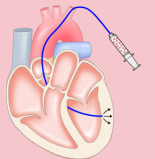
ISSCR
PSC-Derived
Therapies
12/11～12/12



JSRM-ISCT Joint
International Conference
on iPSCs 2026
3/21



製品パイプライン

コード	投与細胞	投与方法	対象疾患	地域	研究	前臨床	臨床治験	承認申請
HS-001	他家iPS細胞由来心筋球	開胸手術 (冠動脈バイパス手術と同時) 	IHD※1	日本	LAPiS試験 (Phase1/2)			
HS-005	他家iPS細胞由来心筋球	カテーテル 	IHD	日本	EMERALD試験 (Phase1/2)			
			DCM※2	日本	治験届完了 2026年投与開始へ向け準備中			
			IHD	海外	2023年当局相談 開始済み			
HS-040	自家iPS細胞由来心筋球	開胸手術 / カテーテル	—	未定	AMEDの補助金を得て開発加速			

※1：虚血性心疾患を原疾患とする心不全

※2：拡張型心筋症を原疾患とする心不全

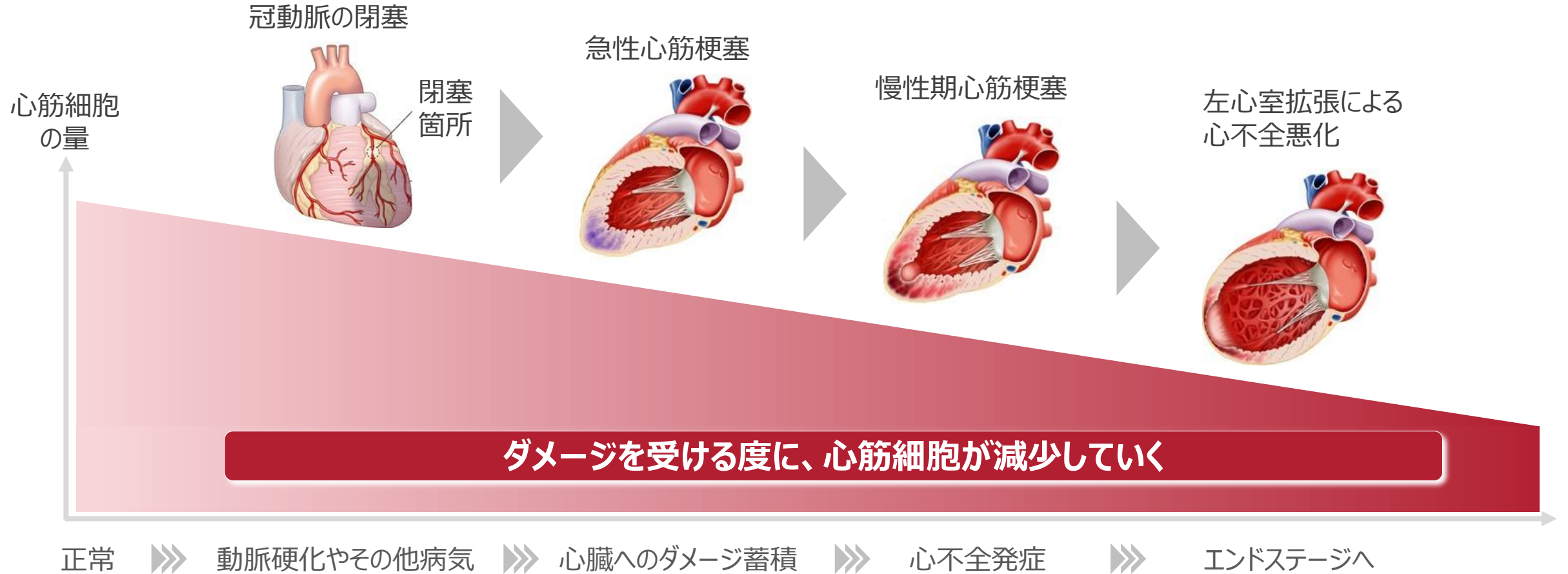


II 巨大な心不全領域に挑む Remuscularization（心筋補填療法）

心不全とは

心筋梗塞やその他病気による心臓のダメージ蓄積によって、入退院を繰り返しながら発症し、やがて死に至る疾患。
心不全発症の原因は、心筋細胞は細胞分裂能力がないため、ダメージを受けると死滅し数が減ってしまうことによります。

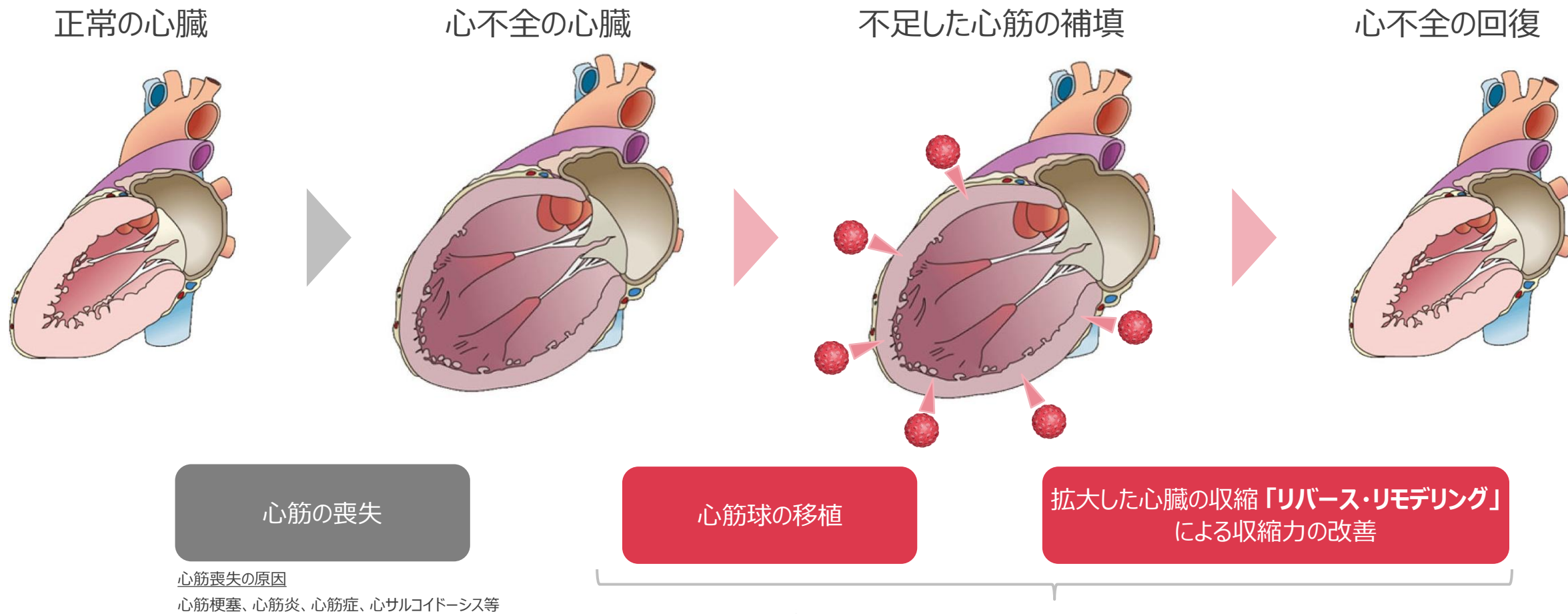
下記はイメージ図



心不全の根治には、不足した心筋細胞を補うことが必要

心筋細胞は生まれた後は細胞分裂をしない為、心筋梗塞等で一部が壊死してしまうと、その後再生することがない。
根治には、根本的な要因である減少した細胞量を補い、ポンプ機能を改善させ、拡大した心臓を縮小させることが必要。

下記はイメージ図



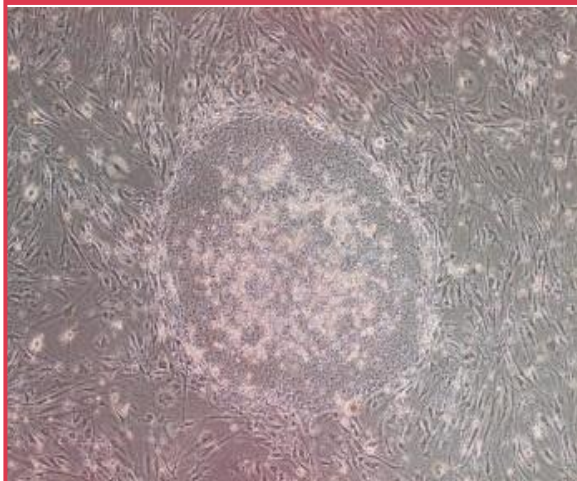
Heartseed の技術により、「リバース・リモデリング」による収縮力の改善が期待される



Heartseedのコアテクノロジー：Remuscularization(心筋補填療法)に必要な技術を広く保有

慶應義塾大学医学部循環器内科による約20年間におよぶ世界最先端の再生心筋研究が集約されている

iPS細胞製造

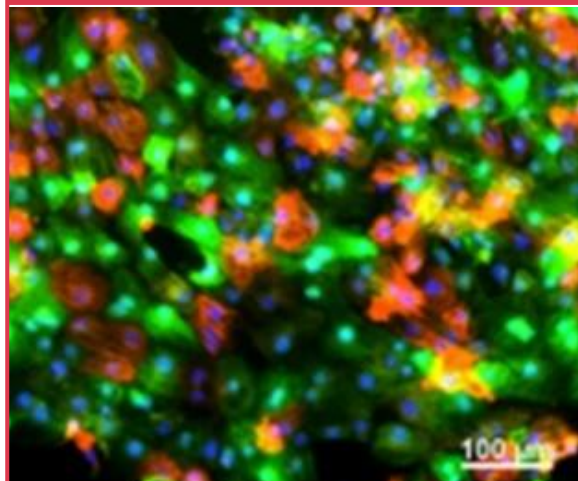


自家細胞治療も可能とする、
高品質なiPS細胞を製造

高品質なiPS細胞製造方法(H1-foo)
(PCT/JP2016/003282)
上記の改良特許(PCT/JP2021/032734)

H1foo Has a Pivotal Role in Qualifying Induced Pluripotent Stem Cells, Stem Cell Reports j Vol. 6 j 825-833 j June 14, 2016

分化誘導

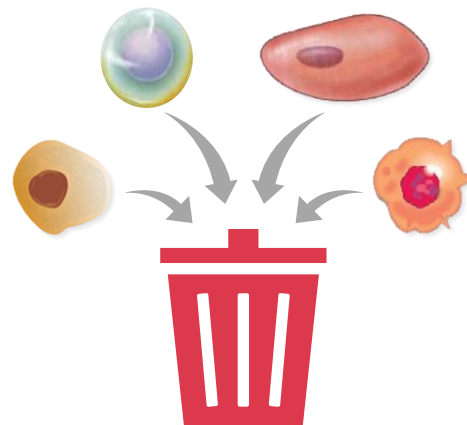


心筋細胞の中から拍動に直接
寄与する心室筋だけを分化誘導

ノウハウを秘匿化

Umei T and Tohyama S: Metabolism in Human PSCs for Regenerative Therapy, The Keio Journal of Medicine
Glutamine Oxidation Is Indispensable for Survival of Human Pluripotent Stem Cells, Tohyama et al., 2016, Cell Metabolism 23, 663-674

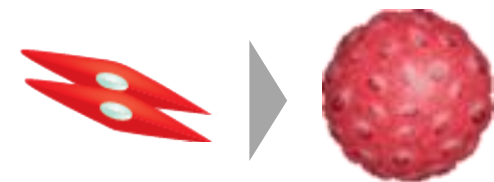
純化精製



残存iPS細胞、目的外の細胞を
選択的に死滅させ、
心筋細胞のみを純化精製

乳酸法(PCT/JP2007/051563)
グルタミン法(PCT/JP2015/071048)
FASN阻害法(PCT/JP2017/037495)

細胞生着



心筋細胞
(シングルセル)

心筋球
(心筋細胞の微小組織)

心筋球を作製し、特殊な移植針を用い
て投与することで、シングル
セルの20倍以上の細胞が生着

心筋球・心筋球形成(PCT/JP2008/064168)
移植針(PCT/JP2019/026979)
心筋細胞群 PCT/JP2024/019949

Nongenetic method for purifying stem cell-derived cardiomyocytes, NATURE METHODS [vol.7 No.1 |January 2010|61-69
Development of a transplant injection device for optimal distribution and retention of human induced pluripotent stem cell-derived cardiomyocytes, The Journal of Heart and Lung Transplantation, Vol 38, No 2, February 2019

コアテクノロジー

特許戦略

論文



Remuscularization (心筋補填療法)

再生心室筋を心臓壁に直接移植することで心筋を補填する画期的な治療法。

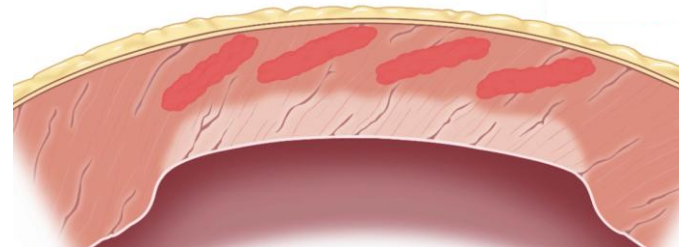
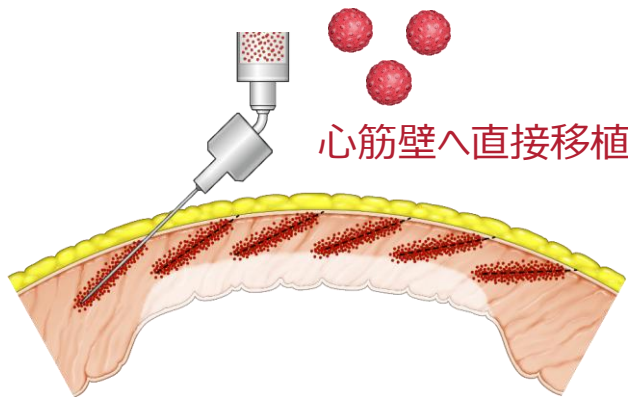
下記はイメージ図

Heartseed のRemuscularization(心筋補填療法)

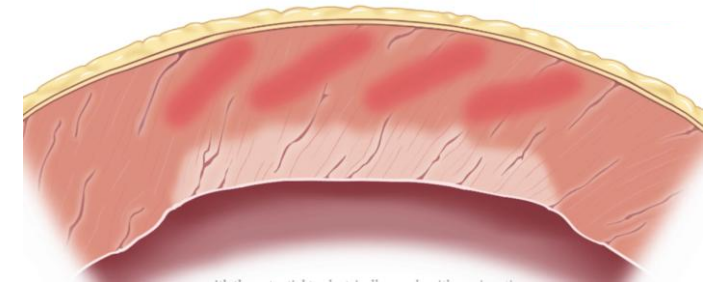


拍動している心筋球

(およそ1,000個の心筋細胞で構成)



心筋細胞は移植後に成長し約30倍に肥大



不足していた心筋を補填



従来の心不全治療法とは異なり、拍動する心筋を直接補填する「心筋補填療法」

従来の治療



薬物療法

LVAD※¹

心臓移植

従来の細胞治療 (シート等)

iPS細胞由来心室筋特異的心筋細胞

心筋細胞 → 心筋球

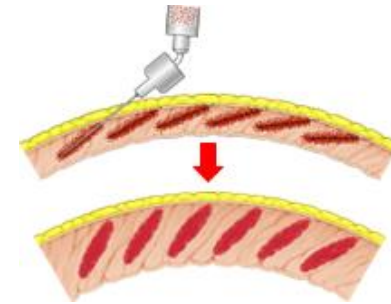
残っている心筋を刺激

残っている心筋を刺激

心筋細胞の数を増やす

+

Remuscularization (心筋補填療法)
「拍動する心筋細胞を補填」



- 血管新生を伴う長期間の生着
- 患者さんの心臓との電氣的結合※⁵

メカニズム

- 心負担の軽減

- LVAD: 血液循環を直接補助
- 心臓移植: 心臓を置換

- パラクライン効果※²を通じた残存心筋の機能向上

特徴

重症患者には有効性が低い

- 重症化すると治療抵抗性増
- 患者毎の有効性のばらつき

普及が困難

- LVAD: 低QOL, 高コスト
- 心臓移植: ドナー不足、高コスト

心筋への間接的アプローチ

- 心筋細胞に分化しない
- 投与細胞が約1-2か月で消失※³

心筋への直接的アプローチ (根治療法となる可能性)

- 前臨床試験において、投与して生着することで高いレスポンスを示す

※¹: LVAD, Left Ventricular Assist Device (埋込み型補助人工心臓) ※²: 分泌された物質が分泌した細胞の周囲の細胞や組織に直接作用すること ※³: STEM CELLS 2012;30:1196-1205, Pluripotent Stem Cell-Engineered Cell Sheets Reassembled with Defined Cardiovascular Populations Ameliorate Reduction in Infarct Heart Function Through Cardiomyocyte-Mediated Neovascularization, Masumoto, Matsuo, Yamamizu et al ※⁵: ギャップ結合と呼ばれる特殊な細胞間チャネルを介し隣り合う心筋細胞は結合します。ギャップ結合は電気抵抗が低く、活動電位が伝わりやすい構造をしています。



他家iPS細胞由来心筋球移植と自家iPS細胞由来心筋球移植

ドナーの血液等の細胞からiPS細胞を作製し、そこから目的の細胞を作製して患者さんに移植する他家iPS細胞治療と、患者さん自身のiPS細胞を作製し、そこから患者さん専用の目的の細胞を作製して移植する自家iPS細胞治療があります。

先行開発

スケール化が見込める他家iPS細胞由来で、製造技術開発と有効性・安全性の確立を先行して進めます。

他家iPS細胞由来心筋球



自家iPS細胞由来心筋球



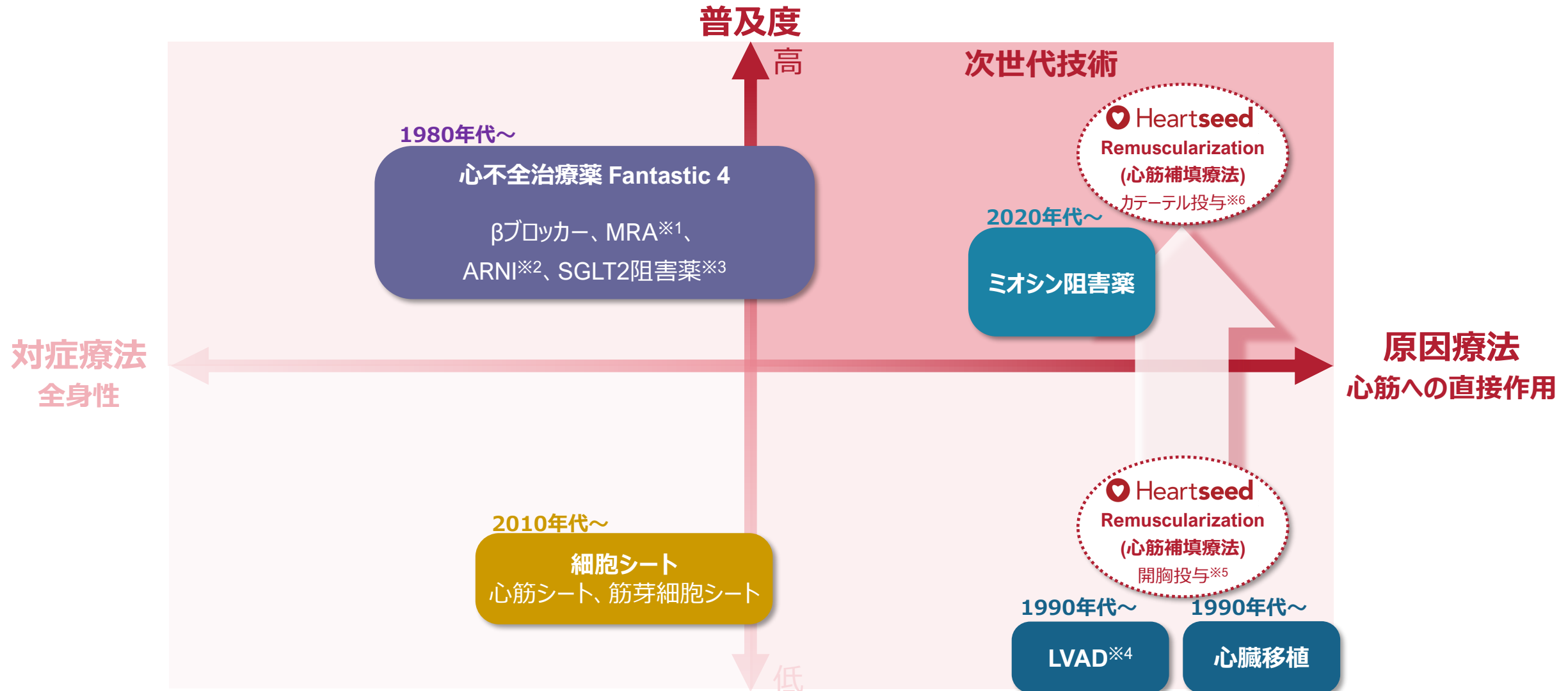
次期パイプライン

免疫抑制剤が不要なより高付加価値なテーラーメイド治療として、免疫抑制剤を使いきい患者を対象に、自家iPS細胞由来に取り組んでいきます。



既存心疾患治療のポジショニングと今後の治療法開発の方向性

イノベーションのフォーカスは、心筋へ直接作用する原因療法へ。心筋補填療法は、次世代技術のリーディングエッジと位置付けられる。

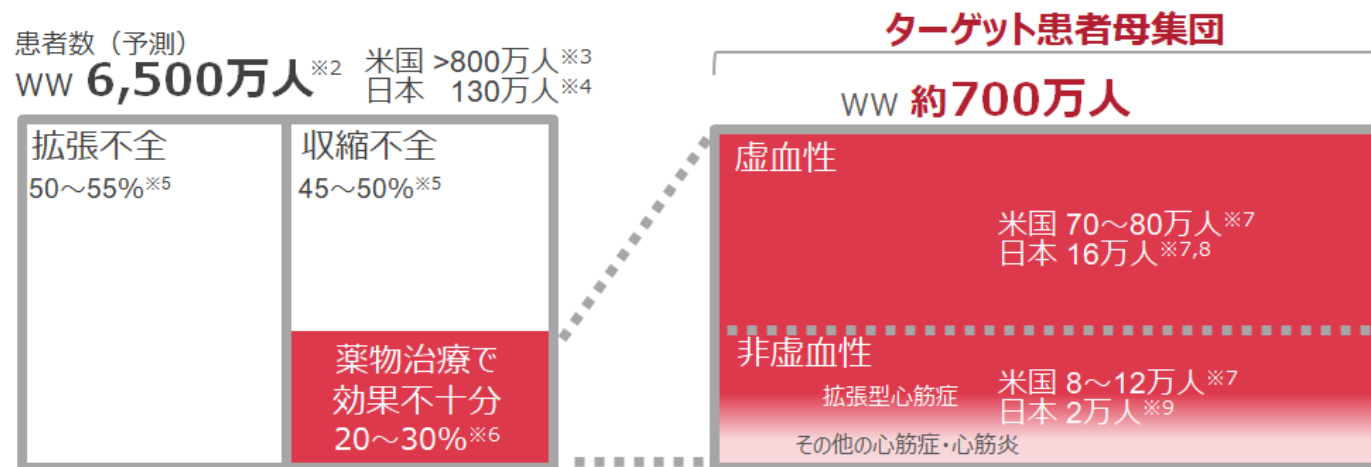


※1: ミネラルコルチコイド受容体拮抗薬 ※2: アンジオテンシン受容体ネプリライシン阻害薬 ※3: ナトリウム・グルコース共役輸送体阻害薬 ※4: 埋込み型補助人工心臓
 ※5: 現在治験中。普及度は当該治療法が上市した場合における当社の想定であり、実際に図のとおりになる保証はない ※6: 今後治験予定。普及度は当該治療法が上市した場合における当社の想定であり、実際に図のとおりになる保証はない



巨大なアンメットメディカルニーズを抱える心不全

■ ターゲット患者母集団



※1 : Amar et al., Circulation. 2007;115:1563-1570 ※2 : Estimate as of 2017, www.thelancet.com Vol 392 November 10, 2018 ※3 : Estimate as of 2030, A Systematic Review of Medical Costs Associated with Heart Failure in the USA (2014–2020), PharmacoEconomics ※4 : Estimate as of 2030, Impending Epidemic -Future Projection of Heart Failure in Japan to the Year 2055-, Circulation Journal (2008) ※5 : Konishi M., ESC Heart Failure 2016; 3: 145–151では約49%、Ushigome R., Circ J. 2015;79(11):2396-407では約54%とあり、保守的に幅をもたせ推計 ※6 : NYHA分類におけるIII-IVを示す (<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33760037/>) ※7 : Heartseedの委託した調査会社によるレポートや提携先から取得した資料から世界の虚血性患者16万人の50%が米国との記述に基づき、保守的に幅をもたせ推計 ※8 : NYHA分類におけるII-IVを示す ※9 : 心筋症診療ガイドライン（2018年改訂版）

■ 適用可能患者数

パイプライン	適応症	日本			米国		
		患者数（人）	適用率	アクセス可能な患者数（人）	患者数（人）	適用率	アクセス可能な患者数（人）
HS-001 (CABGと併用)	虚血性心疾患	16,000※1 (CABG術1.6万例/年)	20%※2	3,400	-	-	-
HS-005 (カテーテル投与)	拡張型心筋症	20,000※3	60%※4	12,000	80,000※4	60%※4	48,000
	虚血性心疾患	160,000※4	10%※4	16,000	700,000※4	10%※4	70,000

※1 : Japanese Registry Of All cardiac and vascular Diseases 循環器疾患診療実態調査（2025年2月）記載のCABG(on-pump・off pump)件数を基に記載
 ※2 : J Jpn Coron Assoc 2012; 18: 130–135 (13.6%, 70/513)、J Jpn Coron Assoc 2011; 17: 8–15 (15%, 135/892)、及び慶應義塾大学病院における調査推計（26%、7/27）に基づき記載。なお、数値は当社の推計・仮定であり、実際と大きく異なる場合がある。
 ※3 : 心筋症診療ガイドライン（2018年改訂版）記載の平成24年、平成29年度の認定患者数を基に保守的に仮定。なお、数値は当社の推計・仮定であり、実際と大きく異なる場合がある。
 ※4 : Heartseedの委託した調査会社によるレポートや提携先から取得した資料に基づいた数字を使用（2022年11月）。なお、数値は当社の推計・仮定であり、実際と大きく異なる場合がある。

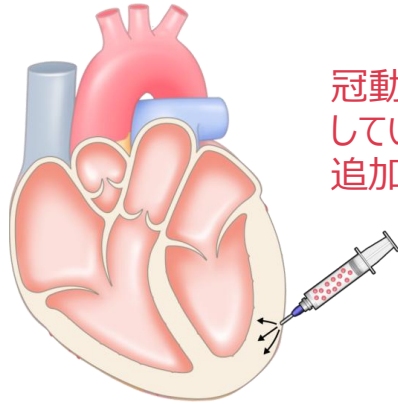


III 先行開発品「HS-001」における治験進捗と事業戦略

HS-001概要、LAPiS試験のデザイン

虚血性心疾患を原疾患とする重症心不全を対象として、心筋球を冠動脈バイパス手術(CABG)時に投与。「LAPiS試験 (Ph1/2)」の全10例の投与が完了し、現在経過観察中。2026年内の承認申請を予定。

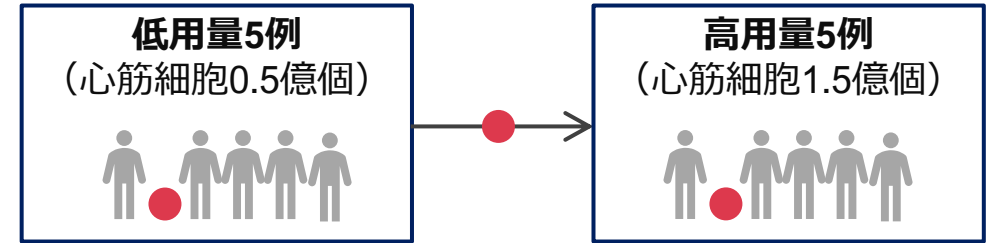
HS-001



冠動脈狭窄により心筋が壊死している重症度の高い患者へ追加の手術負担なく治療可能

製品	他家iPS細胞由来心筋球
投与方法	冠動脈バイパス手術時に、目視下で移植
対象患者	冠動脈が狭窄し、心筋が壊死している重症心不全患者 【参考】バイパス手術：1.6-1.7万件／年
地域	日本
進捗	対照群を置かない非盲検試験として、LAPiS試験(Ph1/2、低用量5例、高用量5例、計10例)を実施中で、全10例の投与が完了し、フォローアップ。 ※終了後承認申請を予定する「主たる治験」として届け出
その他	移植後に免疫抑制剤(ステロイド、MMF、タクロリムス)を投与し26週以降はタクロリムスのみを継続

治験デザイン(LAPiS試験)



● SMC(安全性評価委員会)： 1例目・5例目・6例目投与後1か月経過時に開催。

【治験の目的】

- ・ 安全性に最大限配慮しつつ、多角的な評価基準で有効性の示唆を得る。
 - ・ 心筋細胞投与の有用性、MoAを早期に把握する。
 - ・ グローバル展開への布石として、少数例で、日本で早期承認を狙う。
- 主な治験組み入れ基準：
 - 安静時LVEFが15%-40%、ニューヨーク心臓病協会(NYHA)心機能分類II-IV
 - 主な評価項目：
 - (主要) 26週の安全性 ※特に、投与後重度不整脈の評価など
 - (副次) 26週・52週有効性
 - ・ 心筋の生着 (心筋壁運動、生存心筋量、血流量)
 - ・ 拡大した心臓の縮小 (LVEDV、心胸比)
 - ・ 心機能・マーカー改善 (NYHA、LVEF、NT-pro BNPなど)

} 次ページ



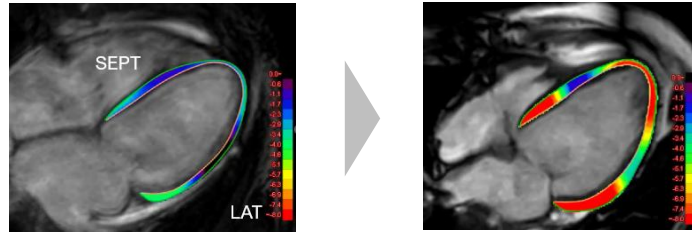
MoAの証明：「LAPiS試験」評価項目の設定意図

主要評価項目は26週の安全性であるが、治験後承認申請の為に、副次評価項目にて複数の評価指標を設定している。
重症患者において、心不全内服薬ではみられない心筋移植部位局所の構造的・機能的な変化を観察し、心臓全体の機能の改善を評価。

心筋補填による構造的な変化

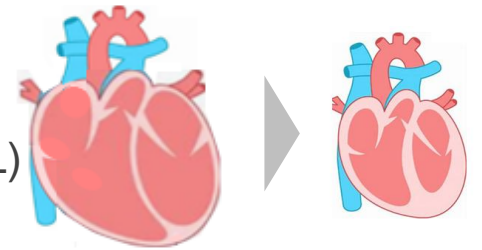
心筋の生着

心筋壁運動
生存心筋量
血流量



拡大した心臓の縮小 (リバースリモデリング)

左室拡張末期容量 (LVEDV) (mL)
心胸比など



期待される心機能やバイオマーカー改善

心不全マーカー 値の改善

NT-proBNP (pg/mL)
(心不全バイオマーカー)

ポンプ機能の改善

左室駆出率 (LVEF) (%)

身体活動の回復

NYHA心機能分類

その他

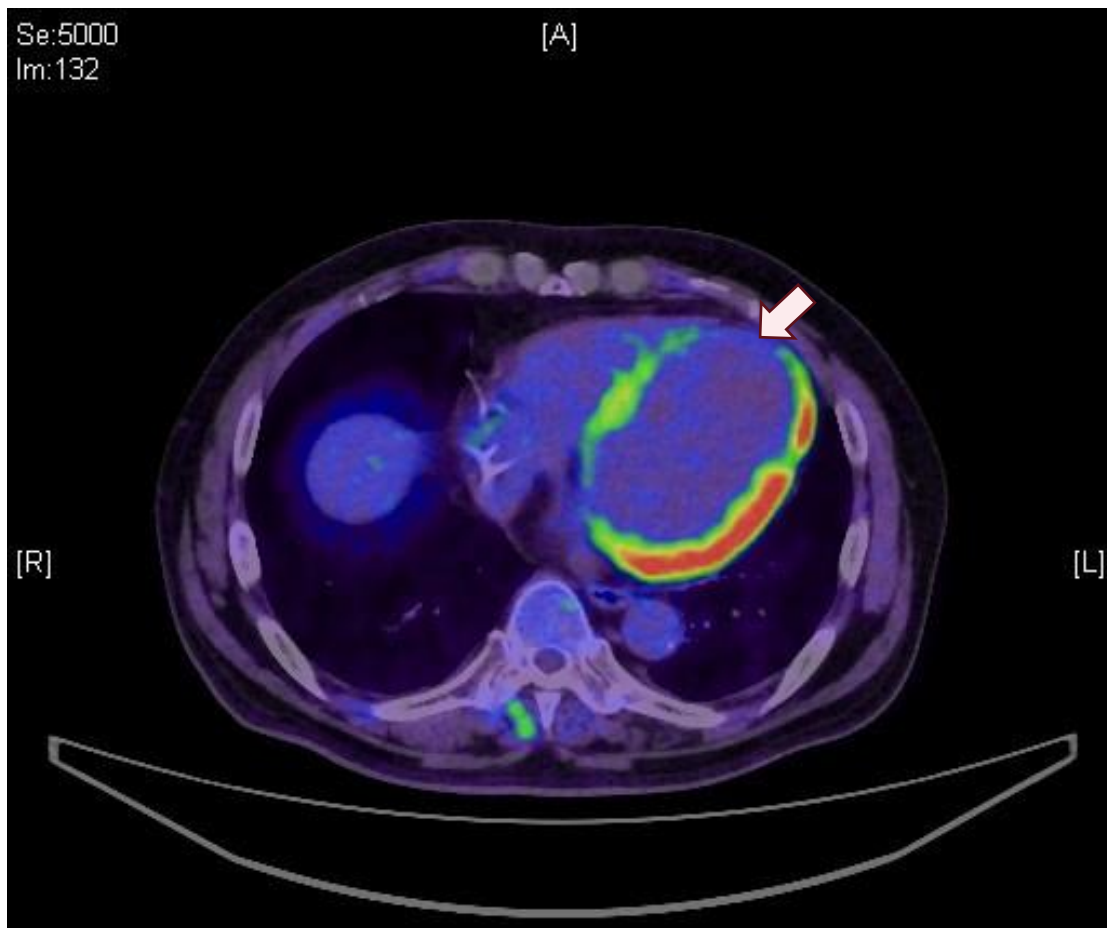
6分間歩行、KCCQ*など

※：The Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire

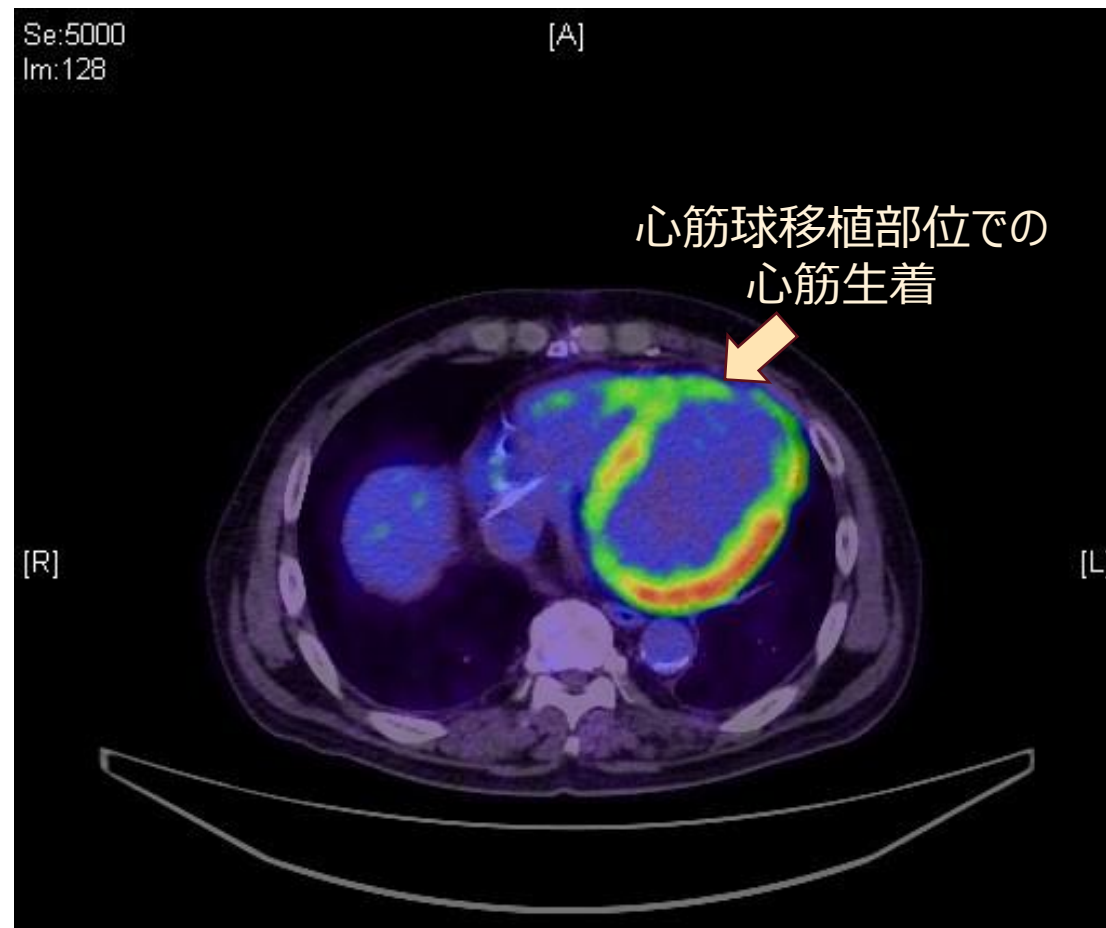
世界で初めてヒト臨床治験において移植心筋の生着が確認された（例: 本治験2例目の施設データ）

心筋の生存が見えるPETを用いて、術前には心筋の生存が見られなかった部位において、心筋球移植後に心筋の生存を確認した。これはCABG※2では起きえない変化である為、移植心筋の生着が示唆された（新しい知見）。

術前



移植後6ヵ月

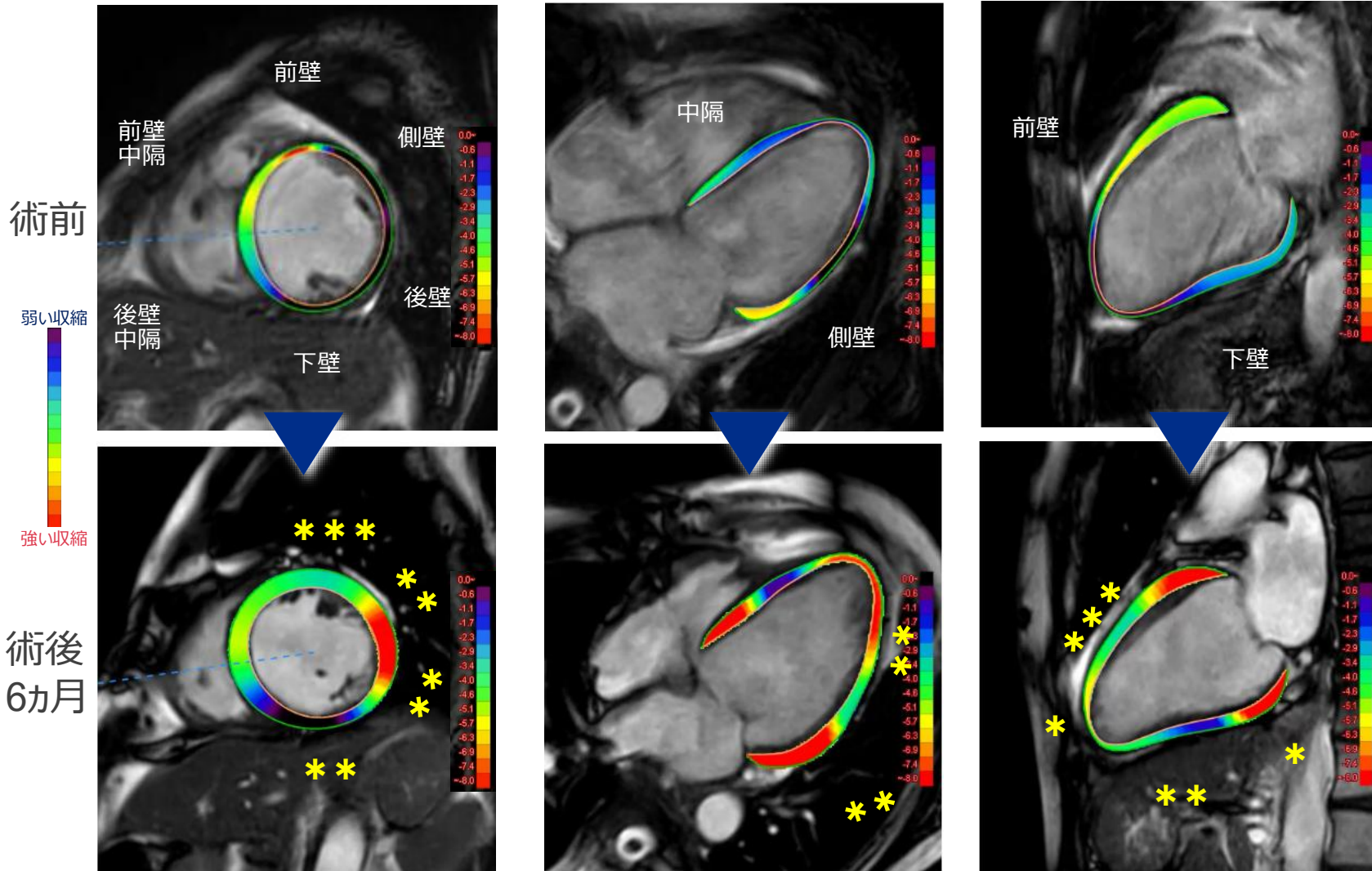


出所: 第88回日本循環器学会学術集会 (2024年3月8日) での治験施設からの発表データ
※1: Positron Emission Tomography ※2: Coronary Artery Bypass Grafting



心筋球生着による心臓の構造的変化を確認：MRIストレイン解析（例: 本治験3例目の施設データ）

最重症な3例目の患者において、拡大した心臓の縮小にくわえ、ポンプ機能の改善を確認。



	拡張末期容量(ml)	収縮末期容量(ml)	駆出率(%)
正常値	90~140	27~95	55~70
術前	273	230	15.8
術後	222	174	21.4
改善意義	19% 縮小改善	24% 縮小改善	6%pt 上昇改善

リバースリモデリング※1は**4年以上の長期**
予後の改善に繋がる可能性※2

EF改善は
低下と比べて**6年以上**
予後が改善する可
能性※3

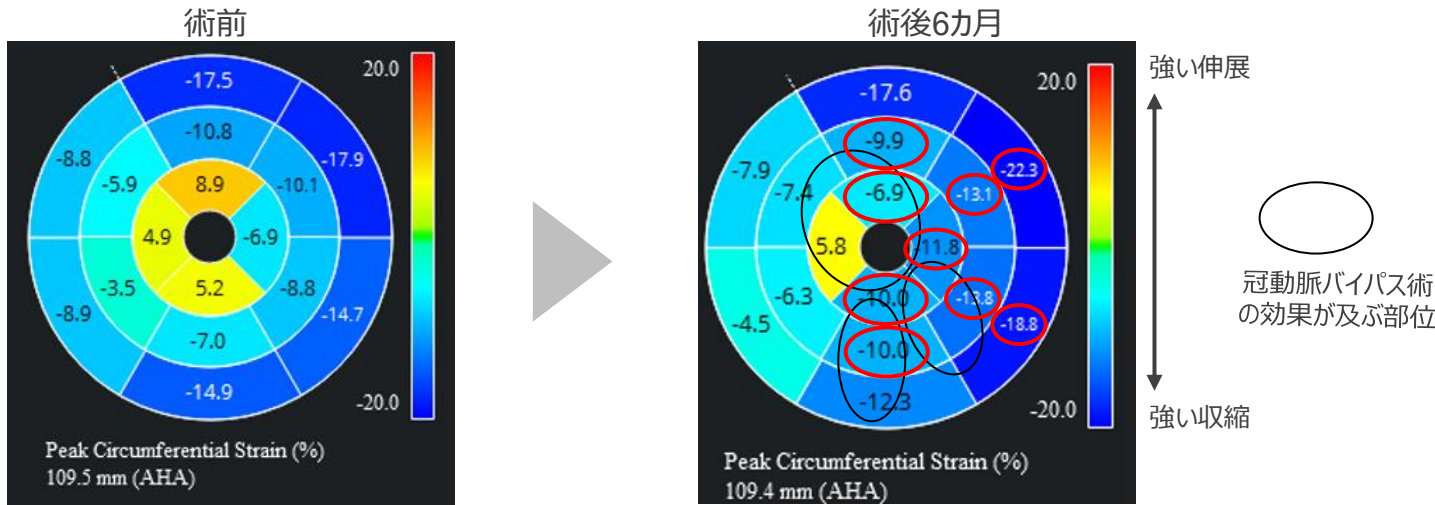
出所: 第88回日本循環器学会学術集会 (2024年3月8日) での治験施設からの発表データ

※1: Left Ventricular Reverse Remodeling 左室リバース・リモデリング ※2: Merlo M, et al., J Am Coll Cardiol 2011 29;57(13):1468-76 ※3: Savarese, G., Stolfo, D., Sinagra, G. et al. Heart failure with mid-range or mildly reduced ejection fraction. Nat Rev Cardiol 19, 100-116 (2022)



LAPiS試験の高用量群：治験施設による学会発表からの中間的な知見

治験7例目 (MRIストレイン)

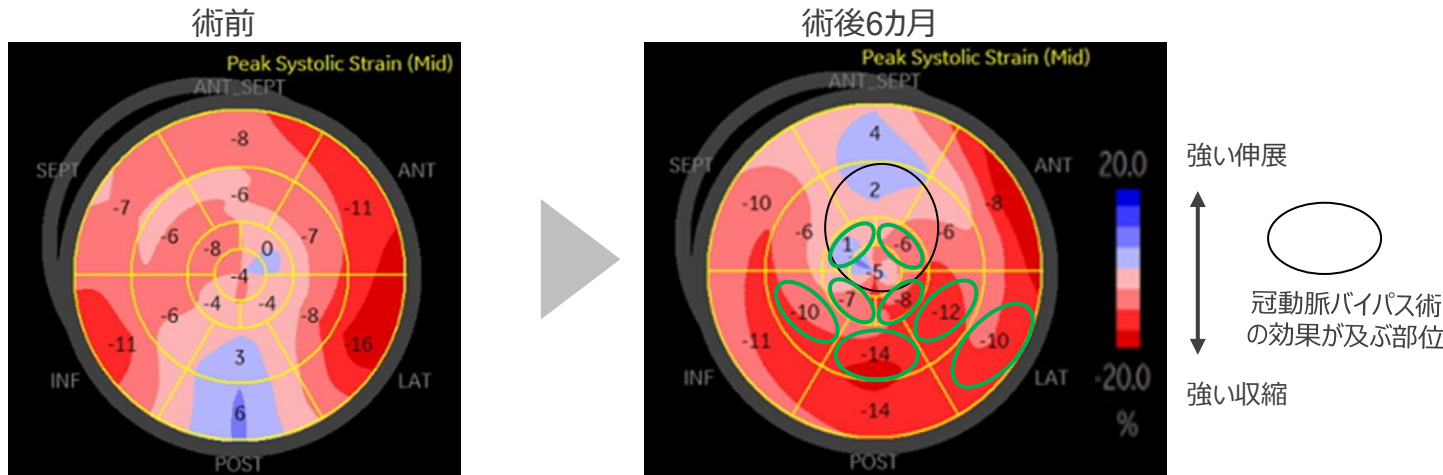


- 移植した部位 (赤線) の大部分で、青色が濃くなり、ストレインの数値が低下 (=強い収縮)
- 冠動脈バイパス術の影響が及ぶ領域 (黒枠) と切り分けても、移植領域での改善が認められる

心筋球移植部位における改善

① 心筋球移植部位において、冠動脈バイパスの有無に拘わらず、局所的収縮が改善した。

治験8例目 (エコーストレイン)



- 移植した部位 (赤線) の大部分で、赤色が濃くなり、ストレインの数値が低下 (=強い収縮)
- 冠動脈バイパス術の影響が及ぶ領域 (黒枠) と切り分けても、移植領域での改善が認められる

② 梗塞により心筋壁が薄くなった部位においても、収縮が改善した。

出所: 第73回日本心臓病学会学術集会での発表資料を基に弊社作成



LAPiS試験の低用量群における術前と術後 1 年の臨床指標の比較

	LVEDV (ml)	LVEF (%)	NT-proBNP (pg/ml)	NYHA	6MWT (m)
正常値	100 - 150	55 - 70%	125	-	-
1 例目	27% 減少 345→251	4% pt 増加 26→30	55% 減少 11,471→5,150	維持 III→III	n/a
2 例目	4% 減少 324→312	11% pt 減少 26→15	>400% 増加 1,069→6,253	維持 III→III	172m 減少 598→426
3 例目	14% 減少 196→169	22% pt 増加 17→39	87% 減少 5,225→684	2 段階改善 III→I	150m 増加 400→550
4 例目	7% 増加 259→276	維持 25→25	55% 減少 8,673→3,927	2 段階改善 III→I	350m 増加 150→500
5 例目	30% 減少 256→179	15% pt 増加 31→46	96% 減少 1,905→68	2 段階改善 III→I	n/a

社内データ

- 僧帽弁閉鎖不全症（MR）とCOVID-19罹患の影響を受けた症例2を除き、全般的に多くの指標で著しい改善が見られた。
- 腫瘍形成、難治性心室性不整脈、治験継続に支障のある重篤な有害事象（SAE）は観察されなかった。
- 再入院が必要となったのは、僧帽弁閉鎖不全症を有する症例2のみであった。



LAPiS試験の高用量群における術前と術後6カ月の臨床指標の比較

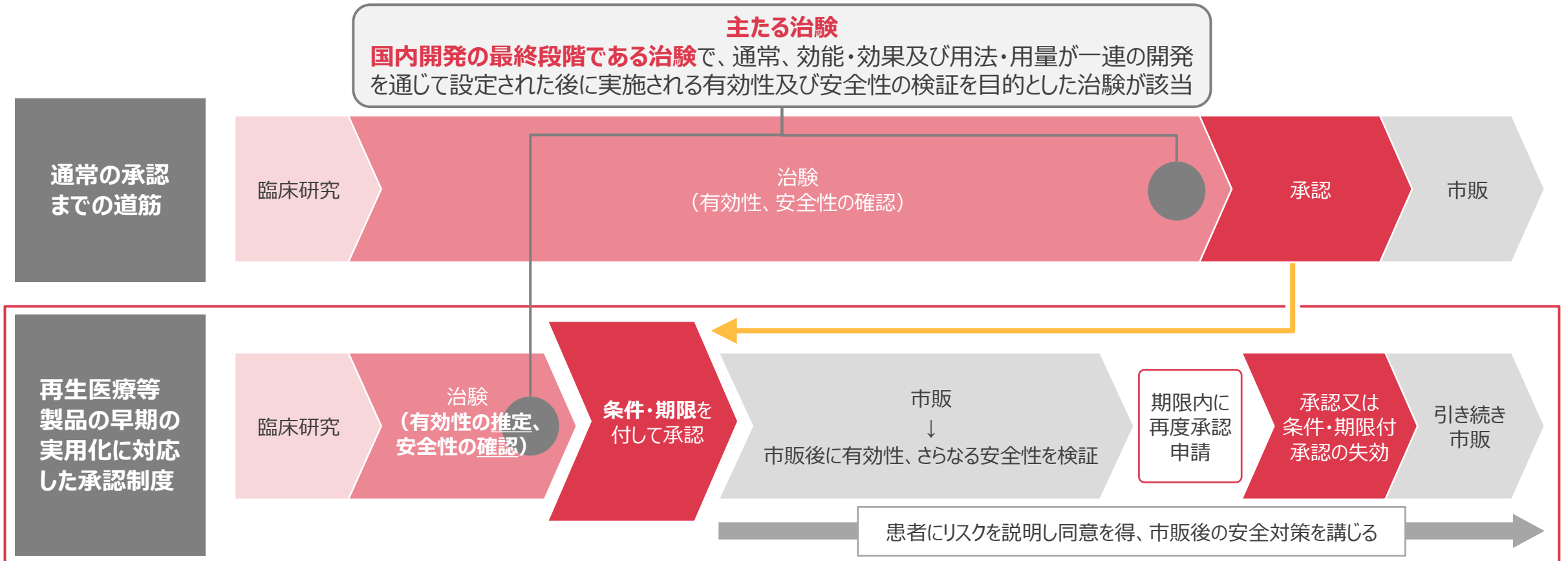
	LVEDV (ml)	LVEF (%)	NT-proBNP (pg/ml)	NYHA	6MWT (m)
正常値	100 - 150	55 - 70%	125	-	-
6 例目	8% 減少 205→189	20% pt 増加 19→39	31% 減少 2,001→1,372	2 段階改善 III→I	175m 増加 435→610
7 例目	13% 減少 202→175	14% pt 増加 26→40	10% 増加 645→711	1 段階改善 II→I	57m 増加 548→605
8 例目	3% 増加 134→138	8% pt 増加 25→33	292% 増加 1,862→7,315	1 段階改善 II→I	71m 減少 356→285
9 例目	10% 減少 315→284	6% pt 増加 21→27	28% 減少 995→712	1 段階改善 II→I	65m 増加 493→558
10例目	22% 減少 301→235	5% pt 増加 22→27	22% 減少 489→382	維持 II→II	20m 増加 481→501

社内データ

- 症状の著しい改善を受けて、移植後3カ月以降に活動量を急激に上げたことによる影響を受けた（第73回日本心臓病学会における治験施設医師による学会報告より）症例8を除き、全般的に多くの客観的指標で著しい改善が見られている。
- 腫瘍形成、難治性心室性不整脈、治験継続に支障のある重篤な有害事象（SAE）は、観察されていない。
- 術前に心不全で頻回に入院していた症例も含めて、術後の再入院は、術後6カ月現在発生していない。



「条件及び期限付き承認制度」を活用し、日本での早期上市を目指す

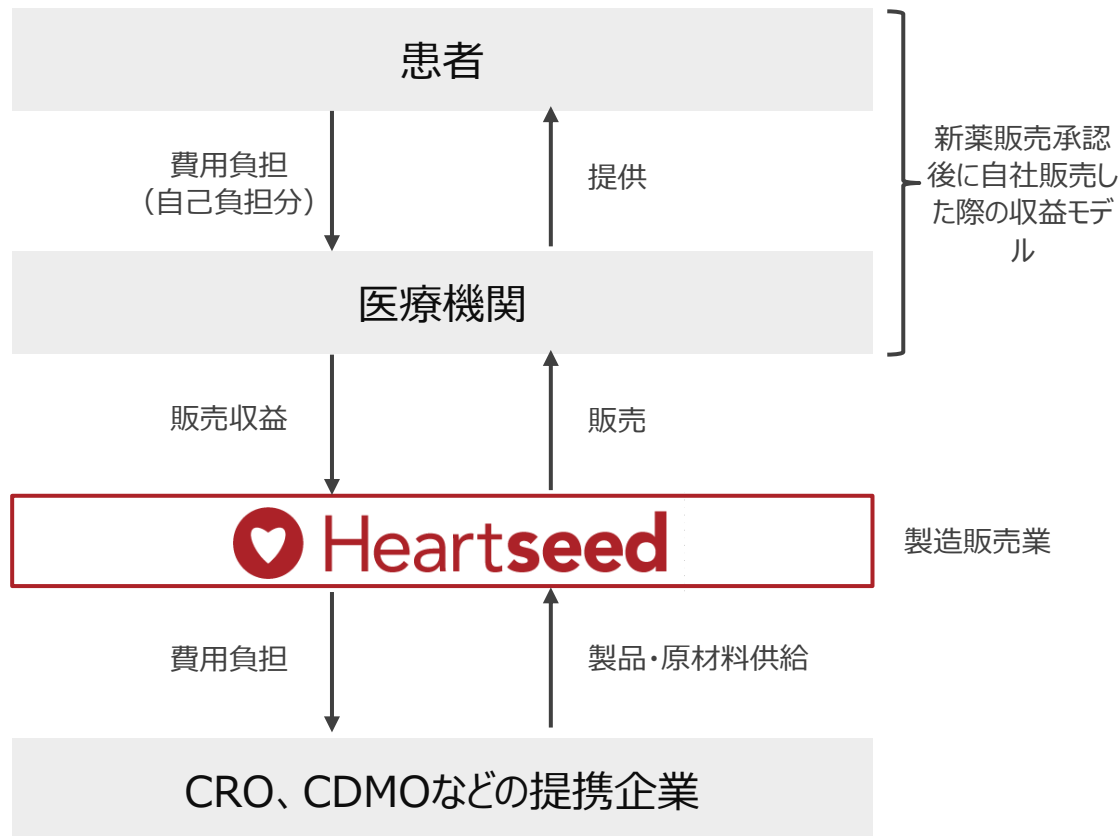


<https://www.pmda.go.jp>



事業のバリューチェーン（HS-001、国内）

国内販売スキーム



※海外販売スキームは未定

提携企業

製造

- 実績豊富なニコン・セル・イノベーションと製造技術開発で長年協力
- 治験製品および市販後の製品製造を依頼



流通・輸送

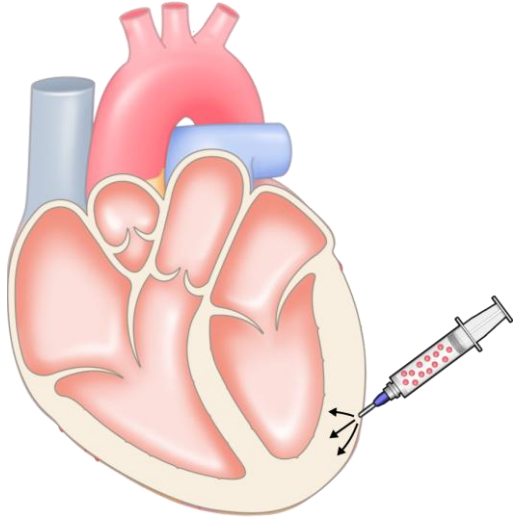
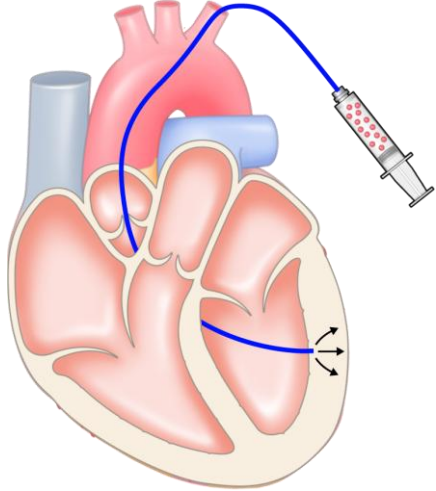
- 細胞流通で国内No.1のメディパルグループと業務提携
- 治験製品及び市販後の製品流通・輸送を依頼



IV 次世代開発品「HS-005」の開発進捗

先行開発品「HS-001」およびグローバル戦略品「HS-005」

最も確実な開胸手術下（冠動脈バイパス手術※¹と併用）における心筋細胞移植「HS-001」を国内で上市を目指す。
続いて、実証された効能結果のもと、より低侵襲なHS-005（カテーテル術）を開発を進め、日本だけでなく世界市場への浸透を図る。

	HS-001	HS-005
開発品目		
アプローチ	冠動脈バイパス手術と併用 （外科的で直視下で打てる）	カテーテル術 （足の付け根から挿入し低侵襲的）
戦略	心筋投与に関するPOCを狙う 日本での条件及び期限付き承認	HS-001で実証した心筋細胞の効果を 世界展開する
展開地域	日本	グローバル

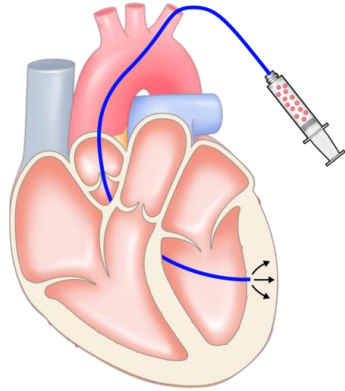
※1：冠動脈バイパス手術（CABG）とは、手術で胸を開き、詰まった冠動脈の先に迂回路（バイパス）をつくる手術で、これにより狭心症や心筋梗塞の原因となる心臓の筋肉の血流不足の改善を目指す。当社が対象としている心不全患者だけでなく狭心症や心筋梗塞の患者にも実施され、国内では年間で約2万件弱の手術が実施されている



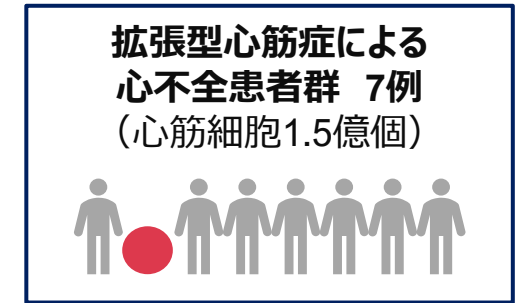
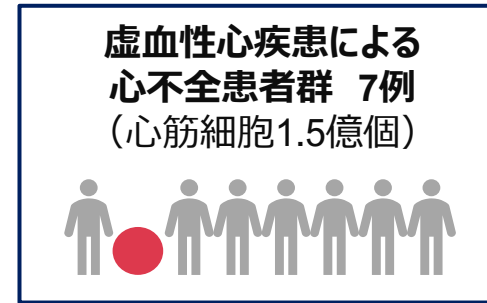
HS-005概要、EMERALD試験のデザイン

虚血性心疾患および拡張型心筋症を原疾患とする重症心不全を対象として、カテーテルを用いて心筋球を投与。
現在、「EMERALD試験（Ph1/2）」を進捗中。

HS-005



治験デザイン（EMERALD試験）



● SMC(安全性評価委員会)： 各群1例目投与後1か月経過時に開催。

製品	他家iPS細胞由来心筋球
投与方法	カテーテルを用いて、直接心筋内に移植
対象患者	<ul style="list-style-type: none">冠動脈が狭窄し、心筋が壊死している重症心不全患者心室が拡大し、心筋全体の収縮力が失われている重症心不全患者
地域	日本
進捗	対照群を置かない非盲検試験として、EMERALD試験（Ph1/2、虚血性心疾患及び拡張型心筋症を原疾患とする重症心不全患者各7例、計14例）を実施中 ※終了後承認申請を予定する「主たる治験」として届け出
その他	移植後に免疫抑制剤（ステロイド、MMF、タクロリム）を投与し26週以降はタクロリムのみを継続

【治験の目的】

- 安全性に最大限配慮しつつ、多角的な評価基準で有効性の示唆を得る。
- カテーテルを用いた心筋細胞投与の有効性を早期に把握する。
- グローバル展開への布石として、少数例で、日本で早期承認を狙う。

■ 主な治験組み入れ基準：

- 安静時LVEFが20%-40%
- ニューヨーク心臓病協会(NYHA)心機能分類II-III

■ 主な評価項目：

【主要】26週の安全性

【副次】52週の安全性、26週・52週の有効性

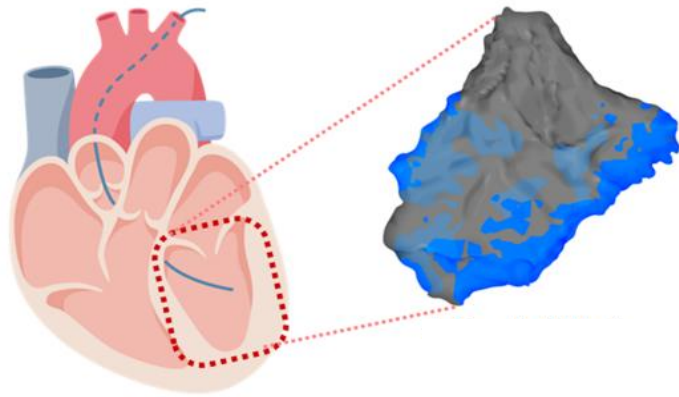
- 局所心筋壁運動
- 拡大した心臓の縮小（LVEDV、心胸比）
- 心機能・マーカー改善（NYHA、LVEF、NT-pro BNPなど）



確実な再生心筋細胞の投与を目指し日本ライフライン社とカテーテル・システムを共同開発

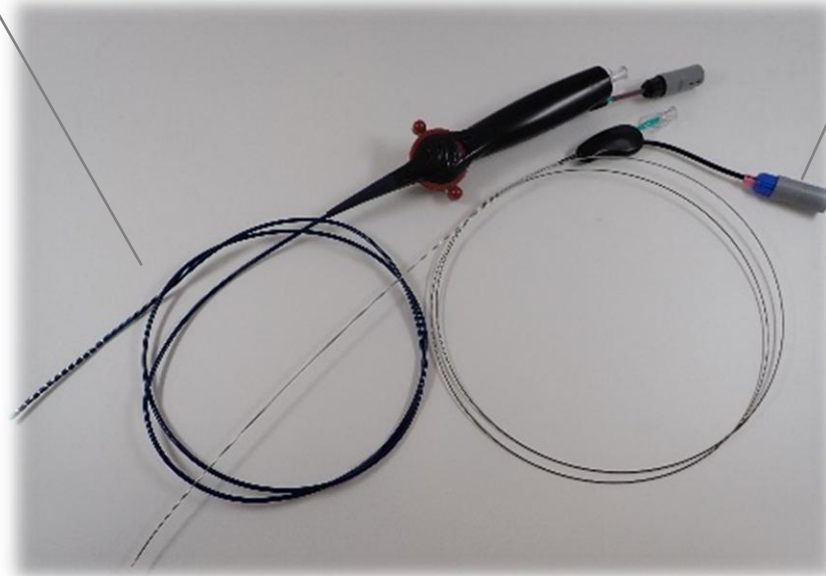
マッピング・カテーテル

心臓内を3D表示。医師がイメージを見ながら、狙った位置にカテーテルを操作できる。



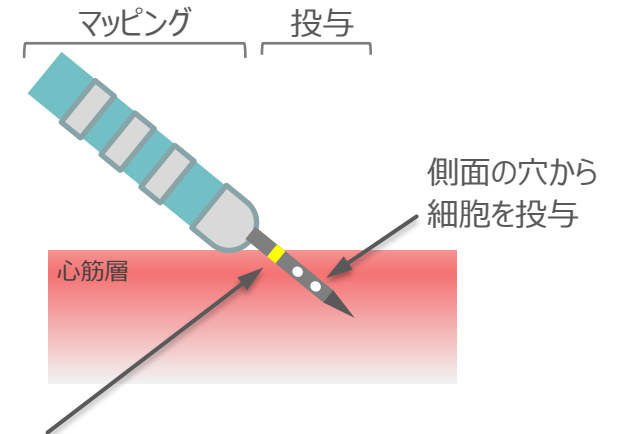
Heartseed

JL Japan Lifeline



投与カテーテル

マッピング・カテーテル内腔から投与カテーテルが突出する仕組み



電極が心筋層に到達した際に心電図の反応を確認できる仕組み



V 競争優位にある市場ポジション

心筋再生療法においてグローバルの競合他社をリード（2026年3月末現在）

「心筋補填療法」において、唯一最終治験に入っており、世界初のiPS細胞由来心筋球移植に向けて他社をリード。

	非臨床ステージ	臨床ステージ	承認済み
心筋内に心筋細胞を移植し生着を図る「心筋補填療法」	<ul style="list-style-type: none">  A社 2022年 撤退発表  B社 2025年 撤退発表  C社 	<div style="border: 1px solid black; padding: 10px; text-align: center;">  <p>全10例の投与完了</p> <p>2026年度中の承認申請予定</p> </div> <ul style="list-style-type: none">  E社 	
心筋のパッチを心臓表面に貼付		<ul style="list-style-type: none">  F社  G社 	<ul style="list-style-type: none">  D社 2026年に条件及び期限付き承認を取得
心筋細胞以外		<ul style="list-style-type: none">  H社 	<ul style="list-style-type: none">  I社 2015年に条件及び期限付き承認を取得したが、本承認には至らず2024年に販売停止

* 心筋補填療法と、それ以外の治療法との比較については、P19を御参照ください。



VI コア技術で構成するプラットフォームテクノロジーの領域展開

テーラーメイド・メディスン: 患者さん自身のiPS細胞を用いた心筋再生医療が現実に

免疫抑制剤が不要な自家iPS細胞由来心筋球「HS-040」に関して基盤技術を開発済み。

自家iPS細胞治療のハードルを克服

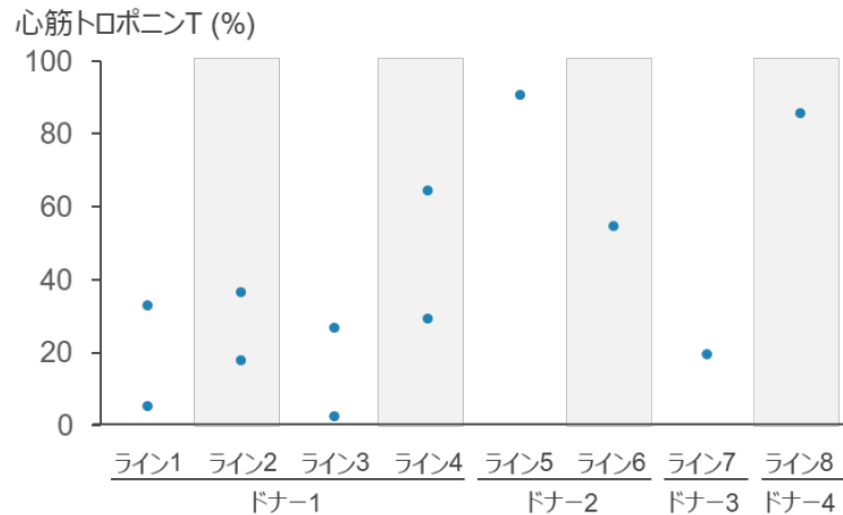
- 通常の心筋分化方法を用いて iPS 細胞から心筋細胞へ分化した場合、分化効率が低い iPS 細胞のラインが多く存在 (左図)
- 当社独自の心筋分化方法「メタボリックセレクション」を適用することで、4 人の異なるドナーを含む 8 つの iPS 細胞ラインの全てにおいて、高い分化効率で心筋細胞を作製することに成功

2023年11月1日発表 プレスリリース

Heartseed がアイ・ピースの iPS 細胞を用い、高純度心筋の安定した作製に成功 : 自家 iPS 細胞による心筋再生医療の推進へ大きく前進

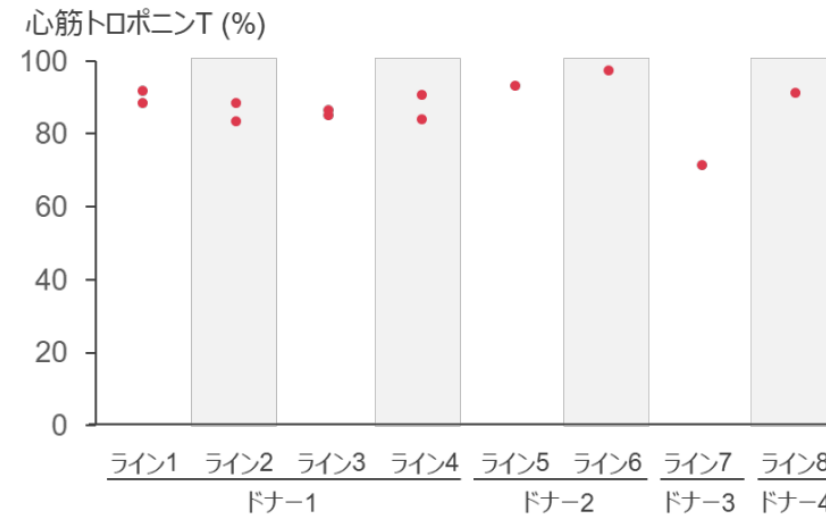
Heartseed 株式会社 (本社 : 東京都港区 代表取締役社長 : 福田恵一、以下 Heartseed) は、個人向け iPS 細胞バンキング企業であるアイ・ピース (I Peace) 株式会社と共同で、I Peace が作製した複数のドナー由来の iPS 細胞株に対して、Heartseed 独自の心筋分化・純化精製方法を用いて分化誘導した結果、そのすべての iPS 細胞株から高純度の心筋細胞を安定して作製することに成功しました。

通常的心筋分化方法



分化効率が低いiPS細胞のラインが多く存在

Heartseed独自の心筋分化方法



全てのラインにおいて、高い分化効率を達成



プラットフォーム技術の一つを心筋以外の領域で既にライセンスアウト

Heartseedは心筋再生医療以外の領域で当社のメタボリックセレクションに関する特許を使用する、もしくは使用を希望される企業に対して、ライセンスを進め、iPS細胞を用いた細胞治療の実用化に貢献してまいりたいと考えています。

2023年9月5日発表 プレスリリース

Heartseed、未分化 iPS 細胞の除去に関する特許ライセンス契約を締結

独自プラットフォーム技術である「メタボリックセレクション」のライセンスアウトで、iPS 細胞を用いた再生医療の心臓以外の領域での産業化にも貢献

Heartseed 株式会社（本社：東京都港区 代表取締役社長：福田恵一、以下 Heartseed）はこの度、iPS 細胞由来の間葉系幹細胞を開発するバイオテック企業（以下、ライセンシー）と当社独自の純化精製プラットフォームであるメタボリックセレクション技術に関する特許について、非独占的なライセンス契約（以下、本契約）を締結したことをお知らせいたします。

契約の背景及び契約の内容

iPS 細胞から目的の細胞を作製し、それを投与する再生医療の臨床応用が進む中で、腫瘍形成の原因となりえる未分化 iPS 細胞をできるだけ除去することが求められています。

今回契約に至った技術は、未分化 iPS 細胞に選択的に高発現する脂肪酸合成酵素を阻害することで未分化 iPS 細胞を除去するものです。

対象特許： 特許第 6811489 号及び対応外国特許¹

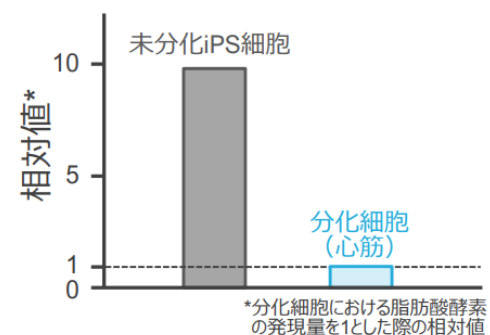
ライセンシーは、自社で iPS 細胞から再生医療に有用と考えられる間葉系幹細胞などの細胞を作製する技術等を有し、本技術を利用することで効率的に未分化 iPS 細胞を除去し、再生医療の開発の推進を図ります。

本契約により、Heartseed はライセンシーに、当該特許の非独占的実施権を許諾し、その対価として、一時金、およびライセンシーの売上高に対するロイヤルティを受領いたします。なお、ライセンシーの企業名、経済条件等は、非開示とさせていただきます。

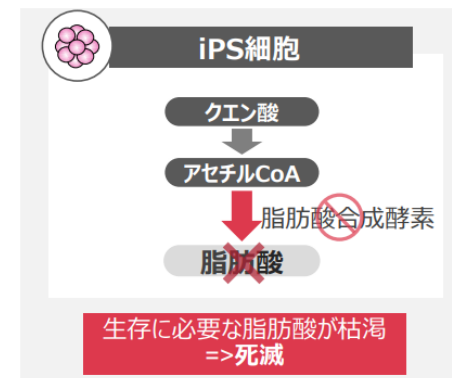
本契約の対象となった脂肪酸合成酵素阻害技術

本契約の対象となった脂肪酸合成阻害法は、極めて単純な工程によって、臨床応用を視野に入れた未分化iPS細胞の除去を可能にする技術です。

脂肪酸合成酵素の発現量の違い



脂肪酸合成酵素阻害の効果



Tanosaki S, et al., iScience. 2020より一部改変

iPS 細胞では、分化した心筋細胞と比べて脂肪酸合成酵素の発現が約10 倍高いことが知られています。そのため、化合物等により脂肪酸合成酵素を阻害すると、iPS 細胞では生存に必要な脂肪酸の合成が阻害され細胞が死滅します。

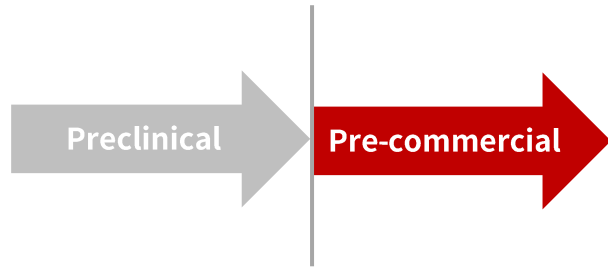


VII 事業計画とIPOによる資金調達の使途

グローバル戦略における当社ポジションの進化

2021年5月から約4年間にわたるノボルディスク社との独占的技術提携を通じて、事業基盤を強化。提携解消後（※）は、開発・製造・販売権が当社に帰属する体制となり、事業ステージの進展と相まって、中長期戦略の戦略的自由度および提携交渉における当社のポジションが大きく向上している。

事業ステージの進捗



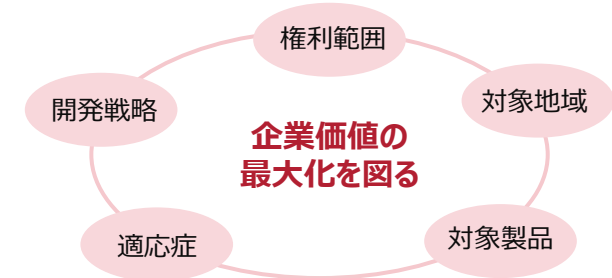
提携期間中、マイルストーンを受領しつつ、各パイプラインの**事業ステージが大きく進展**。HS-001はLAPiS試験が進捗し、貴重な臨床知見を獲得。具体化前だったセカンドパイプラインも、カテーテル投与によるHS-005として確立し、EMERALD試験の準備が完了。

権利や知財の 回帰・受領



導出していた当社の開発・製造・販売に関する**権利及び知的財産権などが当社へ返還**。またノボルディスクが提携期間中に独自に開発していた**ノウハウや知財**についても、当社が追加コストを支払うことなく**使用可能**。

多様な選択肢の追求



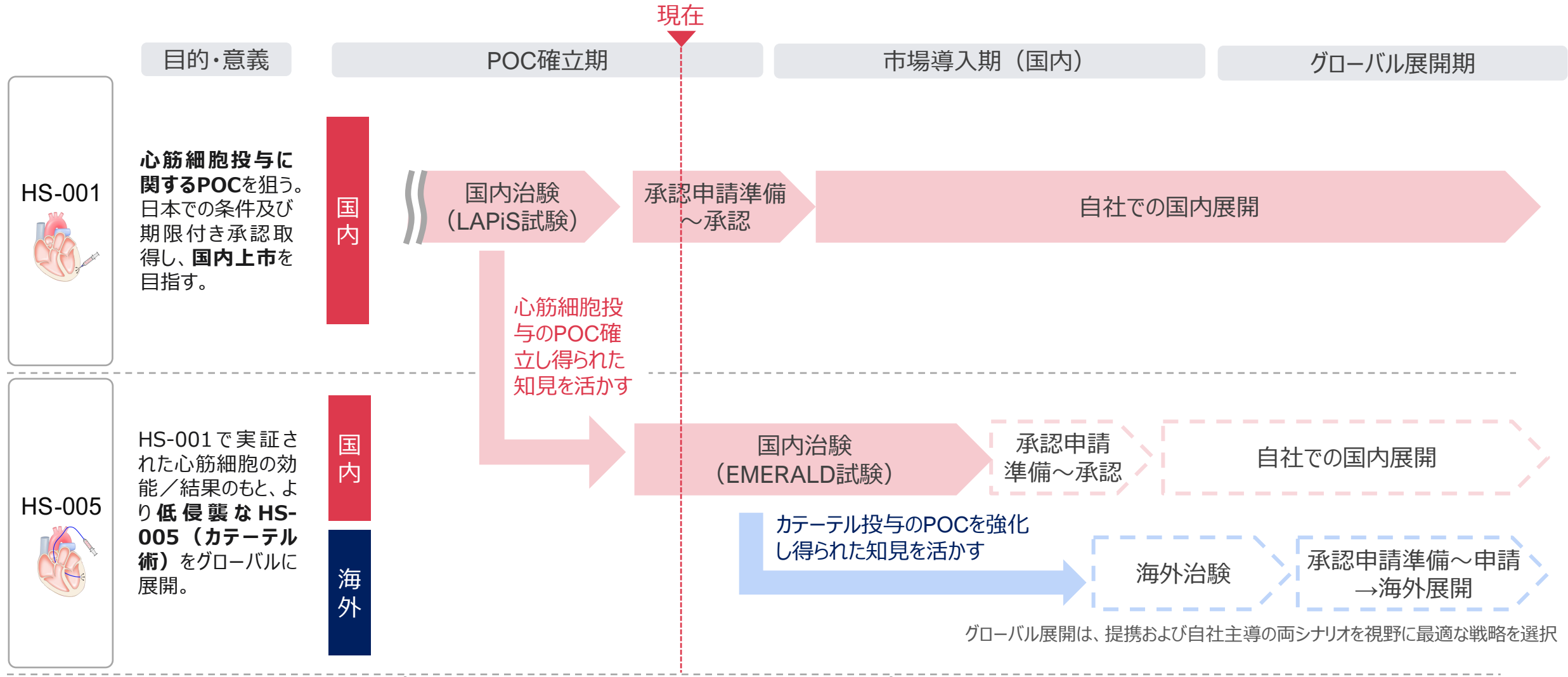
事業の進展と権利の回帰により、当社は開発・製造・販売のライセンス権利範囲、対象地域、対象製品、適応症、開発戦略について**複数の戦略オプションを保持**。**提携戦略の柔軟性**が高まり、企業価値最大化に寄与する可能性。

※2025年9月30日当社リリース「ノボルディスク・エーエスとの提携関係の解消に関するお知らせ」の通り、ノボルディスク社からライセンス契約を解消する旨の通知を受け、提携関係は終了しております。



臨床エビデンスを基盤とした戦略

日本での開発を先行させて臨床エビデンスを蓄積し、海外展開に向けた最適な戦略を推進。



次ページにて説明

※点線項目は現時点での構想であり、実施時期は確定していません。
※現時点での構想であり、実施時期や進捗を保証するものではありません。



主カパイプラインの着実な進捗と2026年の承認申請に向けた展望

★ 重要なイベント

項目	2026年12月期 目標	目標スケジュール	2026	2027
全体	<ul style="list-style-type: none"> 良好なエビデンスに基づく優位な交渉ポジションを活かし、中長期グローバル戦略確立を目指す 			
HS-001 (冠動脈バイパス術との併用)	<ul style="list-style-type: none"> LAPiS試験：10例データ取りまとめ → 2026年中の承認申請を目指す 2027年国内販売開始に向け製販体制整備を推進 	HS-001 (冠動脈バイパス術との併用) 臨床開発・薬事	経過観察 データ解析・申請準備 ★ 申請	★ 承認 申請・審査
HS-005 (カテーテルによる投与)	<ul style="list-style-type: none"> EMERALD試験：2026年上期内に一例目投与を目指す 安全性評価委員会の承認取得後、試験施設医師あるいは弊社による学会発表の機会を模索 	HS-005 (カテーテルによる投与) 臨床治験(国内) ▶ 拡張型心筋症を原疾患とする心不全 臨床治験(国内) ▶ 虚血性心疾患を原疾患とする心不全 臨床治験(グローバル)	組入れ開始 SMC 治験施設との連携開始・患者組入れ 組入れ開始 SMC 治験施設との連携開始・患者組入れ グローバル治験向け製造技術開発・治験デザイン等を検討	★ 26週データ 経過観察・申請準備 ★ 26週データ 経過観察・申請準備

注：あくまで想定されるスケジュールを示したものであり、この時期に実現することを約束するものではありません。



過年度財務状況と今後の方針

(概要) 過年度財務指標

- ・ 約70%の資金を研究開発費に振り分け、管理側は少数精鋭で運営。
- ・ 次世代パイプラインHS-005の治験下の現在においては、厳しい予算管理の元で、価値向上を目指す。
- ・ 堅牢な財務基盤の元で、HS-001の事業化およびHS-005の治験進捗に向け、経営資源を重点的に配分し、着実な進展を図る方針。

(千円)		FY2022/10 (Actual)		FY2023/10 (Actual)		FY2024/10 (Actual)		FY2025/12 (Actual)	
BS	現預金	3,988,069		4,588,118		5,297,166		6,836,009	
	資産合計	4,936,004		5,719,751		7,067,594		7,675,749	
	負債合計	208,450		450,192		444,344		480,837	
	純資産合計	4,727,533		5,269,559		6,623,249		7,194,912	
PL	売上高	499,060		344,725		873,610		3,026,500	
	売上総利益	499,060		344,725		873,610		3,026,500	
	販売費及び一般管理費	▲1,957,650		▲1,804,339		▲1,912,412		▲2,754,343	
	内、研究開発費*1	80.2%	▲1,570,471	75.4%	▲1,360,245	75.3%	▲1,441,540	73.8%	▲2,032,919
	内、管理費等その他*1	19.8%	▲387,179	24.6%	▲444,093	24.7%	▲470,872	26.2%	▲721,424
	営業損益	▲1,458,590		▲1,459,614		▲1,038,802		272,156	
	当期純損益	▲1,412,728		▲1,473,500		▲812,725		190,608	

※1：%は販売費及び一般管理費を100%とした際の内訳を示す



IPOによる資金調達の使途

バイオベンチャー型のビジネスモデルでは、先進医療実現に向けた先行投資が必要です。
IPOによる調達資金は、引き続き、承認取得後の販売開始までに必要な研究開発費や経営管理費に充当することを想定しております。
不足分については、手元資金を充当する方針です。

IPOによる資金使途：

項目	FY24期 ^{※1} (実績)	FY25期 ^{※2} (実績)	FY26期 ^{※2} (計画)	合計
研究開発費 - HS-001、HS-005、次世代パイプライン関連費用、など	155百万円 (充当済み)	772百万円 (充当済み)	724百万円 (今期充当予定)	1,651百万円
経営管理費 - その他経営に関する全般の費用	75百万円 (充当済み)	200百万円 (充当済み)	200百万円 (今期充当予定)	475百万円
合計	230百万円	972百万円	924百万円	2,126百万円

研究開発費・経営管理費に関する主な費用項目：

- ・ 支払手数料： 治験実施のためのCRO及び治験施設への手数料や、細胞製造委託のためのCDMOへの外部委託費用など
- ・ 消耗品費： 細胞製造に関する各種消耗品など
- ・ 人件費： 役員報酬や給料及び手当、福利厚生費など
- ・ 採用費： 人材取得のため紹介会社への手数料
- ・ 地代家賃： オフィスやラボの維持費
- ・ その他： 経営管理に必要な各種費用

※1：2024年7月30日開示の「事業計画及び成長可能性に関する事項」においては、FY24期の研究開発費を200百万円としていたが、2024年8月23日開示の「第三者割当増資の結果に関するお知らせ」の通り、第三者割当増資の手取額が243百万円となり45百万円減少したことから、本減少額分をFY24期の研究開発費想定充当額から減らし、不足分は手元資金により補填をしている。

※2：FY25期は2024年11月から2025年12月までの14ヶ月決算であり、FY26期以降は通常の12ヶ月の決算となる。ただし、上記の内訳金額については、2024年7月30日開示の「事業計画及び成長可能性に関する事項」に記載の10ヶ月前提の充当額から変更していない。



VIII 今後の成長戦略と拡大可能性

中長期ロードマップ

まず世界初のiPS細胞由来心筋球の早期国内上市を狙い、続いて低侵襲なカテーテル投与のグローバル展開を目指す。その後は心臓領域での対象疾患の拡大、心臓領域以外の再生医療へ領域拡大を図る。

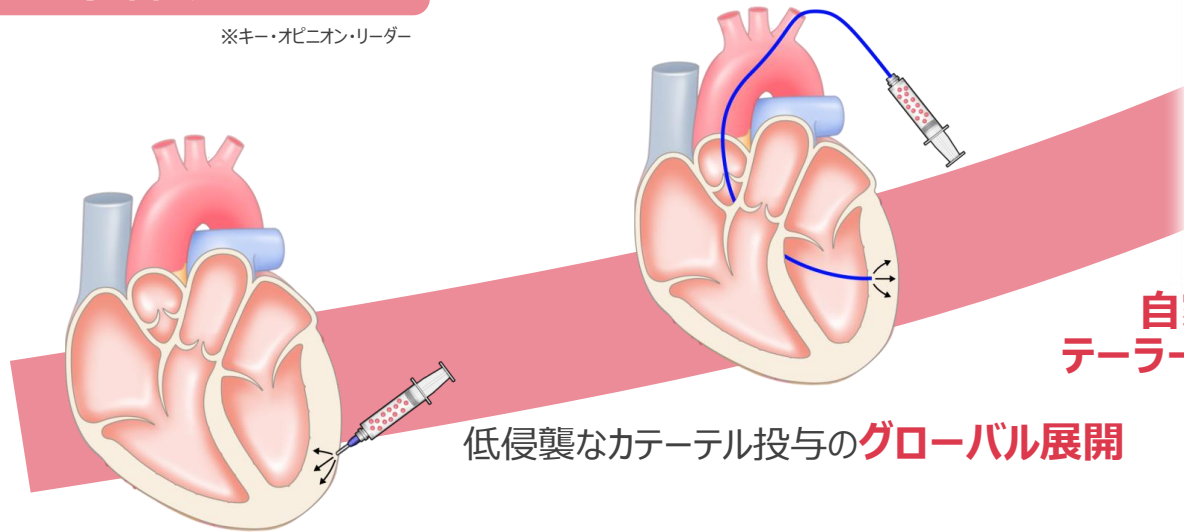
HS-001を開発した実績と
ケイパビリティを基盤に成長推進

世界の学会・KOL※を動かす
メディカル・リーダーシップ

心筋再生医療を切り拓いた
サイエンス

自社・導入・導出から最適解を導く
事業開発力

※キー・オピニオン・リーダー



低侵襲なカテーテル投与の**グローバル展開**

世界初のiPS細胞由来再生
医療等製品の**早期国内上市**



自家iPS細胞を用いて、
テーラーメイド・メディスンを展開



プラットフォーム技術を活用し
種々の再生医療領域へ拡大

IX リスク情報

認識する主なリスク

項目	主要なリスク	顕在化の可能性	顕在化の時期	顕在化した場合の影響度	リスク対応策
技術革新及び競合に関するリスク	革新的な技術が開発された場合、既存技術の大幅な技術の改善がされた場合、遺伝子治療等新規の治療法について技術革新が生じた場合及び新規参入等の状況によっては、従来の技術が陳腐化するリスクがある。また、競合相手が新たな技術を開発し、当社の技術を上回った場合等には経営成績及び事業展開に重大な影響を及ぼす可能性がある。	低	中長期	大	大学や公的研究機関と連携などにより、最先端技術の開発に先行して取り組むとともに、常に最新の技術動向の把握に努めております。
再生医療ビジネスに関する想定外のリスク	進行中または今後実施する治験において、事前に想定していなかったような予期せぬ安全性懸念が発生するリスクがある。また、患者リクルーティングが難航することなどによる臨床試験の遅延、承認申請及び審査過程での遅延に加え、臨床試験の中止や承認が得られず、製品の上市に至らないリスクがある。	低	特定の時期なし	中	安全性に関しては、臨床試験で患者さんに投与する心筋細胞の量と比べて、高い投与量において動物での非臨床試験を実施しており、安全マージンを確保して治験開始しております。治験遅延リスクについては、各治験施設の責任医師や、関連するステークホルダーとの十分な連携を行うことによりリスクを低減しています。
条件及び期限付承認制度取得後のリスク	製造販売後調査の開始後、製品の有効性や安全性が不十分である場合、予期せぬ副作用が発生する場合、調査結果に関する当局との間の見解の相違が生じる場合、または要請された症例数や承認要件を満たせない等の理由により、本承認を取得できない可能性や条件及び期限付承認が取り消される等の可能性がある。	低	中長期	大	各治験施設の責任医師や規制当局など関連するステークホルダーと連携することで、リスクの低減を図ってリスク低減を図ってまいります。
再生医療等製品に関連する法規制のリスク	審査期間の長期化、臨床試験数の増加、審査要件の変更や、当社製品の上市計画に変更が発生する場合、想定した内容での承認が得られない場合がある。医療費の引き下げ圧力などで薬価制度が変更された場合、上市後の薬価が当社の想定する製品価値を下回るなど、収益見通しに影響を及ぼす懸念がある。	低	中長期	中	法規制の見直しなどにいち早く対応すべく、体制の整備に努めております。
特定のパイプラインへの依存について	新規パイプラインは基礎研究の初期段階にあり、これらのパイプラインや今後検討を開始する製品等について、製品化及び収益化に至るかは不確実である。その結果、リードパイプラインへの収益依存度が増し、同製品の開発や販売状況に大きく左右されることとなり、当社の経営成績及び事業展開に影響を及ぼす可能性がある。	中	特定の時期なし	中	開発の各フェーズにおけるリスク管理や行政当局とのコミュニケーション、開発に必要な資金の確保などを通じて、これらのリスク低減に努めてまいります。
製造・輸送・販売体制の構築に関する不確実性について	何らかの理由で体制構築が困難となり、治験薬や承認後の製品供給に遅延が生じる懸念がある。また、製造場所、原材料、製造プロセスの変更が生じた際や、当局からデータ・管理体制に疑義が示され、再度の非臨床・臨床試験の実施を指示される可能性や、臨床試験、承認申請、販売の中止・撤回を要請されるおそれがある。	中	特定の時期なし	中	製造拠点、原材料、輸送体制などサプライチェーンを担う各企業との連携強化に努めるとともに、細胞の保存技術の開発を進めること等を通じて、これらのリスク低減を図っております。
知的財産権に関するリスク	当社の特許権が他社により侵害されるリスク及び当社が他社の特許権を侵害するリスクがある。	低	特定の時期なし	大	各種データベースや特許事務所等を活用して情報収集を行い、必要な場合には各種措置を検討していきます。仮に実施許諾の必要性を認識した場合には、遅滞なく実施許諾などの対応をしていく方針です。

※上記及びそれ以外のリスクは、当社有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。



X Appendix

iPS細胞由来の心筋細胞投与における主要な課題を独自の技術で克服

心筋細胞投与 の主要な課題

不整脈

心房筋やペース
メーカー細胞が混入

腫瘍形成

未分化のiPS細胞が残る

低生着率

シングルセルを投与

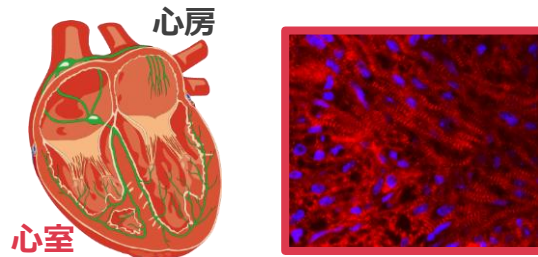
VS

Heartseed のアプローチ

不整脈リスク極小化

心室筋特異的に分化

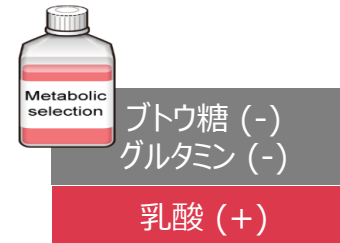
- 心室特異的な心筋細胞を作製



腫瘍化リスク極小化

残存iPS細胞：検出限界以下
(0.001%以下)^{※1}

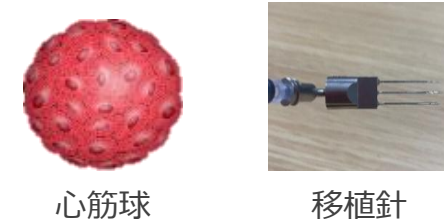
- 独自の培地で残存未分化iPS細胞を除去



生着率20倍以上^{※2}

心筋球を投与

- 自社開発の専用移植針で心筋球を投与



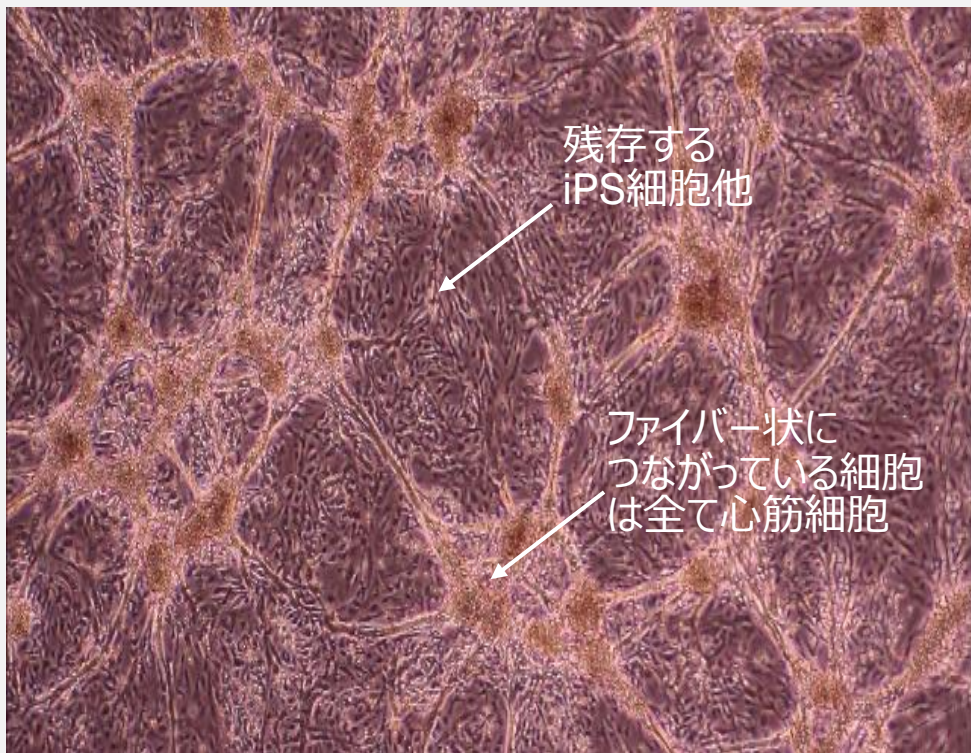
※¹ : Cell Metabolism 23, 663–674, April 12, 2016, Glutamine Oxidation Is Indispensable for Survival of Human Pluripotent Stem Cells, Tohyama et al.

※² : Heartseedによるマウスを使った前臨床結果によると、心筋球は投与1週間後及び2週間後にシングルセルと比較して20倍以上の生着率を確認した

独自のメタボリックセレクション技術（純化精製）で腫瘍化リスクを最小化

残存iPS細胞は腫瘍化リスクにつながるが、Heartseedはエネルギー代謝に着目した独自の手法で検出限界以下(0.001%)*1まで低減。

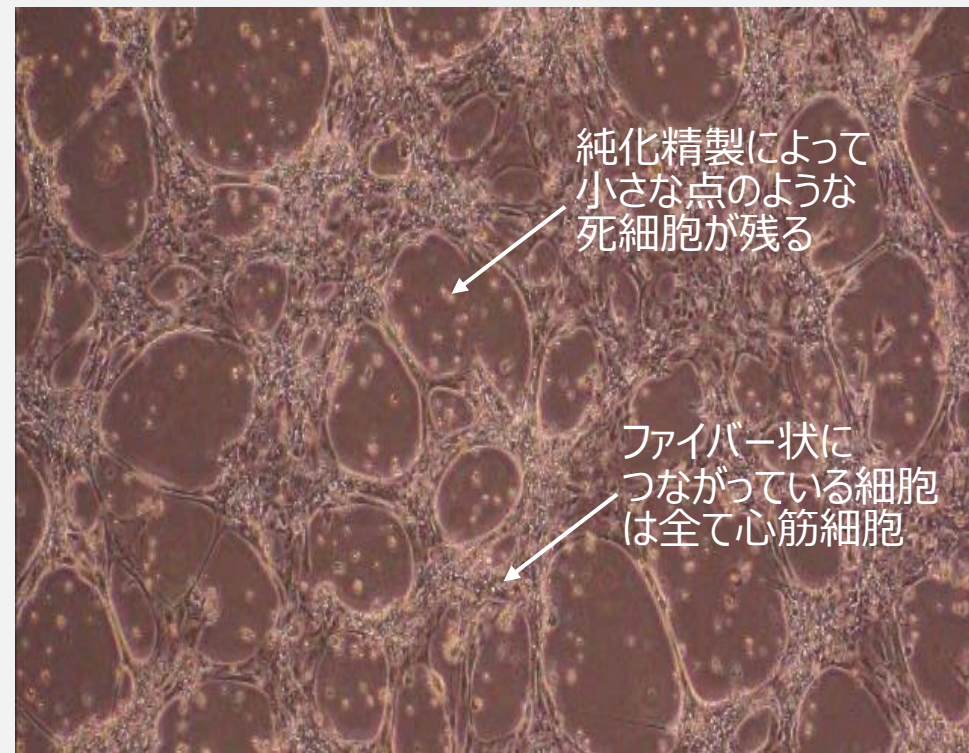
純化精製前



独自開発した 専用培地

- グルコース
- グルタミン
- + 乳酸

純化精製後



Tohyama S, et al. Cell Stem Cell 2013, Cell Metab 2016, Circ Res. 2017

Tohyama S, et al. Cell Stem Cell 2013, Cell Metab 2016, Circ Res. 2017

*1 : Cell Metabolism 23, 663–674, April 12, 2016, Glutamine Oxidation Is Indispensable for Survival of Human Pluripotent Stem Cells, Tohyama et al.

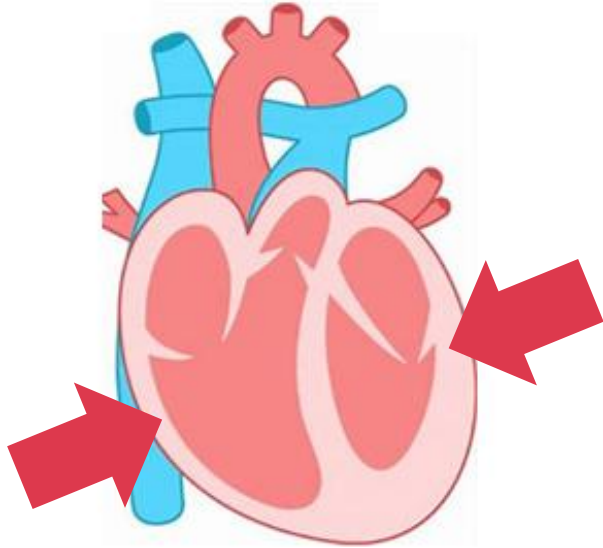


心不全：拡張不全と収縮不全

心臓の心室の機能が低下して心不全になるものを収縮不全。
収縮力は正常だけれども、左心室の拡張力が低下し発症するのが拡張不全です。

収縮不全

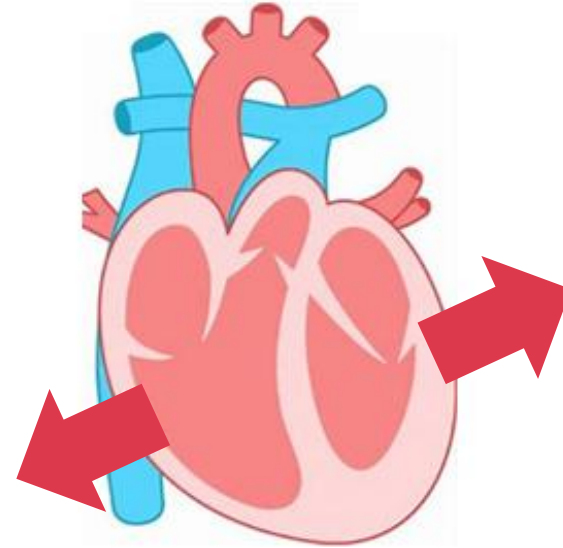
血液を送り出す力が低下



 **Heartseed**
のメイン・フォーカス

拡張不全

戻ってくる血液を取込む力が低下



将来において治療
スコープになる可能性

用語説明

用語	解説
iPS細胞	iPS細胞とは、皮膚や血液等の細胞から人工的に作られた多能性の幹細胞のことで、全ての組織や器官を構成する細胞に分化でき、ほぼ無限に増殖することができます。ES細胞（胚性幹細胞）も多能性幹細胞ですが、生命の根源である胚細胞を滅失してしまうことから、倫理面での問題が強く指摘されています。2006年8月に京都大学の山中伸弥教授らは世界で初めてiPS細胞の作製に成功し、2012年にノーベル医学・生理学賞を受賞しました。
心筋細胞	心臓を構成する複数の細胞のうち、心臓の拡張・収縮に寄与する細胞のことで、心房筋、心室筋（もしくは心室特異的心筋細胞）、洞房結節細胞（もしくはペースメーカー細胞）があります。
他家	移植する細胞や組織が別の個体（ヒトであれば他人）に由来していることを指します。反対に移植する細胞や組織が同一個体（ヒトであれば患者さん自身）に由来していることを「自家」と呼びます。
残存未分化iPS細胞	iPS細胞を分化誘導する過程で、一部分化せずに残るiPS細胞のことを指します。移植する細胞・組織に残存未分化iPS細胞が一定量以上含まれていると奇形種と呼ばれるガンの一種などの腫瘍を形成するリスクがあります。
パラクライン効果	分泌された物質が分泌した細胞の周囲の細胞や組織に作用することを指します。心筋再生療法の場合、移植された心筋細胞から産生されるサイトカインや増殖因子などを介して間接的に改善する効果のことです。
生着	移植した心筋細胞が生着するとは、移植した心筋細胞が患者さんの心臓組織内の一部の構成細胞となって長期間とどまることを意味します。これまでの非臨床試験から、移植した細胞は2週間くらいで患者さんの心臓と同期して拍動するようになると考えられます（電気的結合）。
左室駆出率 (LVEF)	左室駆出率 (LVEF) とは、左室の心筋収縮力 (ポンプ機能) を測定する代表的指標の1つです。心拍ごとに心臓が放出する血液量 (駆出量) を拡張期の左心室容量で割って算出されます。
拡張末期容積 (EDV)	左室が血液で満たされた直後、収縮を始める前 (拡張末期) の容積です。
心室性不整脈	心臓の心室から生じる不整脈の総称であり、無症状のものから治療を要するものまで幅広い種類があります。
冠動脈バイパス手術 (CABG)	冠動脈バイパス手術 (CABG) とは、手術で胸を開き、詰まった冠動脈の先に迂回路 (バイパス) をつくる手術で、これにより狭心症や心筋梗塞の原因となる心臓の筋肉の血流不足の改善を目指します。当社が対象としている心不全患者だけでなく狭心症や心筋梗塞の患者にも実施され、国内では年間で約2万件弱の手術が実施されています。



ディスクレーム

- 本資料は、関連情報の開示のみを目的として当社が作成したものであり、米国、日本国またはそれ以外の一切の法域における有価証券の買付けまたは売付け申し込みの勧誘を構成するものではありません。米国、日本国またはそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録もしくは届出またはこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集または販売を行うことはできません。
- 本資料に含まれる当社以外に関する情報は、一般に公開されている情報等に基づいており、当社はかかる情報の正確性や適切性について何らの検証を行っておらず、またこれを保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、第三者が、その他の目的で公開または利用することはできません。
- 将来の業績に関して本資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。将来予想に関する記述には、これに限りませんが「信じる」、「予期する」、「計画」、「戦略」、「期待する」、「予想する」、「予測する」または「可能性」や将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます。
- 将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績は将来に関する記述に明示または黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。したがって、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。
- 当資料のアップデートは今後、2027年3月頃を目途として行う予定です。

