



2016年1月8日

各 位

**ヘリオスとアサーシス社が MultiStem®を用いた
脳梗塞治療を目的とする再生医療において提携
日本での新しい規制枠組みを用いた脳梗塞等に対する
再生医療等製品の開発と販売にフォーカスした提携**

株式会社ヘリオス（以下、ヘリオスといいます。）（東証マザーズ：4593）と Athersys, Inc.（以下、アサーシス社といいます。）（NASDAQ：ATHX）は、日本国内における MultiStem®を用いた脳梗塞の治療を目的とした新しい細胞治療医薬品の開発および販売に関するライセンスおよび脳梗塞以外の適応症についてはライセンスオプション契約を締結しました。MultiStemはアサーシス社が開発し特許取得済みである量産可能な幹細胞製品であり、現在、アサーシス社は脳梗塞の治療薬としての開発を最優先に進めています。

本契約によって、ヘリオスは日本において MultiStem を脳梗塞の治療薬として開発する独占的な権利を獲得します。ヘリオスは日本における開発と販売を担当し、アサーシス社は製品を製造・供給するとともに日本における開発において適宜ヘリオスをサポートする一方、日本以外の地域における全ての権利は今後もアサーシス社に留保されます。これに加えて、ヘリオスはアサーシス社が米英で臨床試験を行っている急性呼吸促進症候群（ARDS）と整形外科領域疾患の2つの適応症に関して開発に関する日本を対象とした独占的なオプション契約を締結しています。また、ヘリオスが公立大学法人横浜市立大学と共同研究開発を進めている臓器の芽（organ bud）を移植することで生体内にヒト臓器を創り出す再生医療製品の開発に関して、アサーシス社の技術を、まずは肝疾患領域を対象に使用する権利の許諾も得ました。

北海道大学病院病院長・大学院医学研究科医学部脳神経外科教授の寶金清博氏は、「アサーシス社が、欧米で実施した脳梗塞に対する細胞療法（MultiStemによる治療）の国際第二相試験では、神経症状がプラセボと比較して有意に改善する可能性を示されました。さらに、この欧米の治験の二次解析の結果では、アサーシス社の MultiStem による治療が、脳梗塞発症後 18～36 時間の患者さんに対する有効な治療法である可能性が示されました。」と述べるとともに、「今後、t-PA の使用時間の 4 時間半への延長や、機械的塞栓回収術などの実臨床条件下での有効性が示す治験が期待されます。超急性期に、すでに準備された細胞を静脈投与する本治療法は、汎用性が高く簡便であり、有効性が証明されれば、標準的な治療法として広く普及することも期待されます。脳梗塞治療の大きな変革をもたらす可能性があります。」と語っています。

本契約によって、ヘリオスはアサーシス社に対し契約一時金として 15 百万米ドルを支払うとともに、今後

の開発目標やセールスマイルストーンといった販売目標が達せられた際のマイルストーンと発売後は販売額に応じたランニングロイヤルティを支払うこととなります。開発段階に応じた開発マイルストーンは承認時を含めて最大で合計 30 百万米ドルとなります。

現在、日本はバイオ医薬品の使用に関し世界で 2 番目に大きな国です。日本は前例のない早さで高齢化が進んでおり、この変化はこれからの数十年間の国家の医療システムに重大な課題を課すことになると予想されます。そこで増加が予想される医療費といった課題への対策として過去 2 年で日本では、安全性が確認されて有効性が示唆された革新的な新しい治療法に限り、開発を促進するように規制の枠組みが変更されました。これら最近施行された規制改革は、有効な治療法のない患者への治療薬の開発を促進するためのものであり、特に新規の再生医療による治療法の開発を促進するために設計されています。

アサーシス社が特許を持つ細胞治療医薬品 MultiStem は、現在、米国及び英国にて脳梗塞に対する第 2 相臨床試験の段階です。脳梗塞以外にも ARDS や心筋梗塞、移植後に発症する重篤な合併症である GVHD（移植片対宿主病）の予防など移植のサポートを適応症として開発が進められています。ヘリオスは、日本で脳梗塞の臨床試験を 2016 年後半に開始するべく準備を進める考えです。

ヘリオスの代表取締役社長の鍵本忠尚は、「欧米で第 2 相臨床試験を実施した段階にある革新的な細胞治療医薬候補品である MultiStem について、アサーシス社と国内における開発と販売に関する独占的なライセンス契約を締結したことを大変うれしく思います。脳梗塞の治療時間を広げることができる MultiStem の市場ニーズは高いと考えられ、製品が上市された場合は当社の早期黒字化に貢献することを期待しております。」と述べるとともに、「アサーシス社が有する技術は当社が臓器作製のプラットフォーム技術と考える臓器原基の作製についても生産及び開発効率を高める効果が期待され、iPSC 再生医薬品分野の事業化をより加速させることが可能なシーズの獲得と考えております」と語っています。

ヘリオスは iPSC 細胞から網膜色素上皮細胞を作製して加齢黄斑変性（AMD）の治療薬として開発を進めるなど、日本で再生医療をリードしている会社のひとつです。2013 年に国立研究開発法人理化学研究所から AMD の新規治療薬の開発に関する特許および技術のライセンスを受けております。また公立大学法人横浜市立大学から多能性幹細胞から機能的なヒト臓器を作製する技術に関し、全世界における独占的なライセンスを取得しています。また大日本住友製薬株式会社、澁谷工業株式会社、株式会社ニコン、国立大学法人大阪大学等とも提携関係にあります。

アサーシス社の会長兼 CEO の Dr. Gil Van Bokkelen は、「脳梗塞の新しい治療薬開発を発端として、日本における MultiStem の開発をヘリオスと協業できることを大変うれしく思います。ヘリオスは、経験豊富な経営陣を擁し、再生医療領域の変わりゆく重要性と可能性を強く認識しています。またヘリオスは脳梗塞以外のいくつかの重要な疾患領域についてもともに取り組む可能性も有しており、非常に魅力的な展望を持ち合わせた企業でもあります。だからこそ我々は新たなパートナーとしてヘリオスを選択しました。」と述べるとともに、「ヘリオスの財務体質はとて良好で、多くの組織・機関との優れたネットワークを持っており、日本の新しい規制の下での迅速で効率の良い開発を進めるうえで成功のカギを握るパートナーです」と語っています。

脳梗塞について

脳梗塞は、死亡率が高く、患者さんの生活の質を著しく低下させることから、医療現場で治療薬のニーズが特に高い疾患です。現在、世界での患者数は1,500万人以上にのぼり、米国、欧州そして日本において毎年合計で200万人以上が亡くなっています。脳梗塞は脳卒中の主要な病態で、脳内の血流が遮断されることで引き起こされます。酸素や栄養分が脳に供給されないため、組織の壊死や神経系のダメージをきたすだけでなく、長期間または永続的な身体の障害を招くことがあります。現在、脳梗塞に対する治療法は限られており、唯一の治療法である血栓溶解剤 t-PA や機械的血栓回収術は発生後数時間以内に投与する必要があります。このように治療可能な時間が短いため、積極的治療を受けられる患者さんは数パーセントであり、ほとんどが補助的もしくは緩和ケアの対応となっています。多くの患者さんが長期入院や長期の理学療法、リハビリテーション、また多くが長期にわたる施設内でのケアや家族の介護を必要とするため、長期間にわたる経済的負担が深刻となっています。

MultiStem について

MultiStem は、特許取得済みの再生医療製品であり、炎症や組織の損傷のシグナルに反応して、治療効果のある物質を産生すること等のさまざまな方法を通じて、組織の修復や治癒を促進する能力があることが示されています。多方面からの治療アプローチを示すということから、単一の作用メカニズムにフォーカスしたこれまでのバイオ医薬品による治療と差別化できる可能性があります。MultiStem は量産可能な幹細胞製品であり、数年間の凍結保存が可能で、患者さんの免疫型にかかわらず投与でき、免疫抑制剤の必要もありません。前臨床および臨床試験でみられた良好で一貫した安全性と新規作用メカニズムによる有効性から、MultiStem による治療は重篤な症状に悩む患者さんのアンメットメディカルニーズにこたえる可能性が期待されます。アサーシス社は、MultiStem による細胞治療において、神経、心血管、炎症、免疫系の疾患領域のさまざまな適応症に向けた開発のために戦略的提携や幅広いネットワークでの協業体制を構築しています。

アサーシス社について

アサーシス社は、人々の寿命を延ばし、生活の質を向上させる治療薬候補品の探索や開発に注力する国際的なバイオテクノロジー企業です。開発中の MultiStem を用いた細胞治療医薬品は、特許取得済みの成人由来の量産可能な幹細胞製品です。現在、心血管、神経、炎症、免疫系の疾患領域を適応症として複数の臨床試験を実施し再生医療製品としての評価を行っています。アサーシス社は、このプラットフォームや製品のさらなる発展に向け、大手製薬企業やバイオテクノロジー企業だけでなく、世界的に有名な研究機関と戦略的な提携や連携を構築してきました。詳細につきましては www.athersys.com をご覧ください。

ヘリオスについて

ヘリオスは、iPS 細胞を用いた再生医療製品の開発で先行してい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（東証マザーズ：4593）しています。国内は大日本住友製薬と共同で、目の難病である加齢黄斑変性を対象として開発を進めており、2020年の製造販売承認の取得を計画しています。眼科領域以外にも横浜市立大学と共同で生体内に機能的なヒト臓器を創り出す再生医療等製品（3次元臓器）の研究開発を開始しています。世界が抱える大きな社会問題である高齢化に対し、再生医療による解決に取り組む企業です。詳細につきましては <https://www.healios.co.jp/> をご覧ください。

本件に関する連絡先:

Athersys, Inc.

William (B. J.) Lehmann, J.D.

President and Chief Operating Officer

Tel: (216) 431-9900

Fax: (216) 432-2461

bjlehmann@athersys.com

株式会社ヘリオス

コーポレートコミュニケーショングループ

Tel: 03-5777-8308

Fax: 03-3434-7231

pr@healios.jp