

2025 年 10 月 27 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)

腎機能障害に関する MUST-ARDS 試験サブグループ解析結果のお知らせ

当社は、米国において外傷による多臓器不全／全身性炎症反応症候群を対象とした体性幹細胞再生医薬品HLCM051の有効性及び安全性を検討する第2相試験（治験名称：MATRICS-1試験）を実施しております。外傷時には、大量出血による腎血流の低下や、ショック状態、筋肉の損傷に伴う腎毒性物質の蓄積が原因となり、重度の腎機能障害を引き起こすことがあります。そのため、MATRICS-1試験では、HLCM051投与後30日の腎機能の回復を主要評価項目としています。

この度、欧米において既に実施されたARDS*1 患者に対する第1/2相臨床試験（治験名称：MUST-ARDS 試験）のデータのうち、重度の腎機能障害を併発していた患者を抽出したサブグループ解析（20例）結果によると、プラセボ投与群と比較し、HLCM051投与群において腎機能障害の改善傾向が見られましたので、お知らせいたします。

■MUST-ARDS 試験：投与 28 日後の HLCM051 投与群とプラセボ投与群との結果比較

	AKI*2 または腎機能低下 (CC*3<80)	投与 28 日後：AKI 離脱ま たは腎機能回復 (CC≥80)	改善率
HLCM051	13 名	8 名	61.5%
プラセボ	7 名	1 名	14.3%

HLCM051投与群では改善率が61.5%と、プラセボ群の14.3%を大きく上回る結果が得られました。この結果は、HLCM051が持つ抗炎症作用や免疫調節作用が、腎機能障害の改善に寄与する可能性を示唆しているものと考えます。

ARDS患者を対象としたMUST-ARDS 試験は、腎機能障害に対する有効性評価を目的として設計されたものではありませんが、本サブグループ解析結果に基づくと、症例数50名規模の臨床試験を通じて統計学的有意性をもってHLCM051の有効性の検証が可能であると期待されます。当社は、外傷による腎機能障害患者156名の被検者組入れを予定しているMATRICS-1試験を通じて、引き続きHLCM051の有効性及び安全性の検討を進めてまいります。

外傷は、米国における45歳未満の死亡原因の第1位、全死亡原因の第3位であり（Centers for Disease Control and Prevention）、重度な腎機能障害を含む多臓器不全／全身性炎症反応症候群を併発することが知られています。また、当社はARDS治療薬に関して、国内における条件及び期限付承認申請に向けた準備、ならびに米国を中心としたグローバル第3相試験（治験名称：REVIVE-ARDS試験）の開始に向けた準備を進めております。先進国における主な死因や、有効な治療法がなく新たな治療薬が望まれる急性炎症領域（ARDS、脳梗塞、外傷等）において、引き続き製品開発を進めてまいります。

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 急性腎障害（AKI: Acute Kidney Injury）

AKI は、腎機能が急激に低下し、老廃物排出や水分・電解質バランスの維持が困難になる病態です。外傷時には、大量出血による腎血流の低下や、ショック状態、筋肉の損傷に伴う腎毒性物質の蓄積が原因となり、急性腎障害を引き起こすことがあります。診断は血清クレアチニン値の上昇や尿量減少を基に行われ、治療は原因の除去や支持療法が中心です。適切な治療が行われない場合、慢性腎疾患や多臓器不全を招くことがあります。

*3 クレアチンクリアランス（CC）

クレアチンクリアランスは、腎臓が 1 分間にどれだけの血液をクレアチニンから浄化できるかを示す指標で、腎機能を評価する際に使用されます。患者の腎機能を迅速に評価するために臨床現場で広く使用されており、特に腎疾患の発見や進行状況のモニタリング、および薬剤の投与量調整に役立ちます。以下の計算式を採用しています。（腎臓がクレアチニンを浄化する血液量）＝ $[(140 - \text{年齢}) \times \text{体重(kg)}] / [72 \times \text{血清クレアチニン値(mg/dL)}]$ ；女性の場合は $\times 0.85$ ；単位は mL/分。

■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患者さんにとって新たな治療法として期待されています。この分野では、製品開発・実用化への取り組みが広がり、将来的には大きな市場とす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）など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（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。体性幹細胞再生医薬品分野では、健康な成人ドナー骨髄由来の体性幹細胞から成る独自の細胞製品である HLCM051 を使用した脳梗塞急性期や急性呼吸窮迫症候群（ARDS）および外傷の治療を実施しています。HLCM051 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さんで試験され、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さん

で安全性と有効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、HLCM051 をグローバルに推進してまいります。iPSC 再生医薬品分野では、免疫拒絶のリスクを低減する次世代 iPS 細胞であるユニバーサルドナーセル (UDC: Universal Donor Cell) を作製し、さらには、遺伝子編集技術により固形がんに対する殺傷能力を強化した次世代NK細胞(eNK®細胞)の開発を、株式会社 Akatsuki Therapeutics の主導で進めています。eNK®細胞は、動物モデルにおいて強固な抗腫瘍効果を実証しており、大量生産が可能な 3D バイオリアクターでの製造プロセスを実現しています。これらにより、がん免疫領域をはじめ、眼科領域、肝臓領域などで新規治療薬の開発に取り組んでいます。

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

本件に関するお問合せ先
IR 広報部 ir@healios.jp