



2023年2月13日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 へ り 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)
問 合 せ 先 執 行 役 C F O リチャード・キンケイド
(TEL：03-4590-8009)

臓器原基技術に関する今後の研究開発推進に向けた方針について

当社は現時点での事業進捗を踏まえ、事業体制の最適化に向け各パイプラインの中長期的な視点での戦略の見直しを進めてまいりました。その中で、iPSC 再生医薬品分野における臓器原基技術*1の研究開発を加速させるため、当社からカーブアウト（事業の切り出し）する方針としましたので、お知らせいたします。

当社は、肝疾患領域において、機能的な3次元ヒト臓器をつくり出す臓器原基技術（開発コード：HLCL041）を用いた治療法開発に向けた研究を進めております。肝臓原基は、肝細胞に分化する前の肝前駆細胞を、細胞同士をつなぐ働きを持つ間葉系細胞と、血管をつくりだす血管内皮細胞に混合して培養することで形成されます。当社は、これらの構成細胞及び形成された肝臓原基の機能評価や品質規格に関する研究を進めるとともに、2022年4月より国立大学法人東京大学医科学研究所再生医学分野と、ユニバーサルドナーセル*2（Universal Donor Cell: UDC）を用いた肝臓原基の製造法確立を目的とした共同研究を進めてきました。また、2018年には、当社連結子会社である株式会社器官原基創生研究所を設立し、肝臓分野に限らずプラットフォーム技術として多面的な観点からの本技術の実用化を検討してまいりました。

上記のようにこれまで当社は、実用化に向けて臓器原基技術の基礎的研究等を当社グループまたは共同研究先と進めてまいりましたが、当社の経営資源の適切な再配分を検討した結果、開発のさらなる加速のため、今後当社からカーブアウトした上で、ベンチャーキャピタル等の外部パートナーと共同で研究開発を推進する方針といたしました。

現時点でその具体的な実施スキーム等は決まっておらず、本件による当社連結業績への影響はありませんが、今後開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせいたします。

以上

*1 臓器原基技術

臓器原基技術は、胎内で細胞同士が協調し合って臓器が形成される過程を模倣するという発想から開発されたもので、3種類の細胞（組織前駆細胞、血管内皮細胞、間葉系細胞）を一緒に培養することで臓器のもとになる立体的な臓器原基（臓器の芽）を人為的に創出する新規の細胞培養操作技術です。同技術は、肝臓のみならず、膵臓、腎臓、腸、肺、心臓、脳などさまざまな器官の3次元的な器官原基を創出することにも成功しています。当社は、2014年10月、公立大学法人横浜市立大学との間で同技術に関する全世界における独占的な特許実施許諾契約を締結しました。

現在、臓器が適切に機能しない臓器不全症という病気に対しては、機能を損なった臓器を健全な臓器へ置換する臓器移植が極めて有効な治療法として実施されています。しかしながら、年々増大する臓器移植のニーズに対し、ドナー臓器の供給は絶対的に不足しており、同技術は臓器移植の代替治療として多くの患者を救済し得る新たな治療概念を提唱できるものと期待されます。

*2 UDC

免疫拒絶反応を抑えた他家 iPS 細胞です。通常、移植細胞は患者との HLA 型を一致させない場合には、免疫拒絶反応を起こします。そのため、移植時には免疫抑制剤の投与が必要となりますが、患者の負担も大きくなります。免疫抑制剤の投与を回避するためには、自らの細胞から作製する自家 iPS 細胞の使用が望ましいのですが、この作製には多くの時間と多額の費用が必要となります。UDC は、遺伝子編集技術を用い、免疫拒絶反応の抑制を可能にする iPS 細胞です。当社の UDC は、他家 iPS 細胞から拒絶反応を引き起こす HLA 遺伝子を除去し、その細胞に免疫抑制関連遺伝子、および安全装置としての自殺遺伝子を導入した、安全な細胞医薬品の原材料となる細胞です。iPS 細胞本来の特長である無限の自己複製能力や、様々な細胞に分化する多能性を維持しながら、免疫拒絶を抑え安全性を高めた再生医療等製品創出のための次世代技術プラットフォームです。

■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罹患者に対する新たな治療法として期待されている分野であり、製品開発・実用化へ向けた取り組みが広がり、近い将来大きな市場となることを見込まれています。ヘリオスは、iPS細胞（人工多能性幹細胞）等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。

独自の遺伝子編集技術を用いて免疫拒絶のリスクを低減する次世代iPS細胞、ユニバーサルドナーセル（UDC: Universal Donor Cell）を作製し、がん免疫領域、眼科領域、肝疾患等において、iPS細胞技術を用いた新たな治療薬の創出のための取り組みを進めています。iPS細胞由来の再生医療等製品としての第一候補であるHLCN061は、固形がんに対する殺傷能力を遺伝子編集により強化した次世代のNK細胞治療薬です。また、現在、体性幹細胞再生医薬品を用いて日本国内における脳梗塞急性期および急性呼吸窮迫症候群に関する治験を実施し、申請に向け規制当局との協議を進めています。

(詳細は<https://www.healios.co.jp/>をご覧ください。)