



2025年4月23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 C E O 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
(T E L : 0 3 - 4 5 9 0 - 8 0 0 9)

日本における脳梗塞急性期治療薬の条件及び期限付承認申請に向けた 会社方針の決定と開発戦略について

当社は、日本国内において脳梗塞急性期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プラセボ対照二重盲検第2／3相試験（治験名称：TREASURE 試験^{*1}）を実施し、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おりました。この度、当社は、本日付公表「[NEDO 公募課題「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」採択のお知らせ](#)」（以下、「本公募事業」と言います。）の計画に従い、脳梗塞急性期を対象疾患とした国内での条件及び期限付承認申請（以下、「当該申請」と言います。）を目指す会社方針を決定しましたのでお知らせいたします。

TREASURE 試験においては、2022 年 5 月「[TREASURE 試験の速報値に関するお知らせ](#)」の通り、米国での試験結果に基づき設定された主要評価項目に関して国内約 200 例のデータにおいて未達であったものの、脳梗塞の患者さんの日常生活における臨床的な改善を示す確立した複数の有効性評価の指標で、1年後の患者さんの日常生活自立の向上が示唆され統計学的有意性が示されました。

更に 2024 年 3 月に厚生労働省審査管理課から「[再生医療等製品に係る条件及び期限付承認ならびにその後の有効性評価計画策定に関するガイダンス](#)」が発出され、条件及び期限付承認には、製造販売後使用成績調査もしくは製造販売後臨床試験（以下、「市販後調査」と言います。）のデザイン計画等が合理的かつ実施可能性のある計画である事が重要である旨が通知されました。

このような背景の中、当社は、本公募事業を通じて構築される予定の大規模言語モデル（Large Language Models、以下、「LLM」と言います。）を用いた電子カルテと連携したレジストリを用いて市販後調査を実施することで、年間数百例の症例登録が可能となると考えています。当該レジストリは、既に脳卒中の患者さんに関する臨床データを蓄積してきた多施設共同脳卒中データベース（[Fukuoka Stroke Registry](#)；以下、「FSR」と言います。）を教師データとする計画です。当社の脳梗塞急性期治療薬の開発・申請方針に関しては、追加の第3相試験は実施せず、本公募事業を前提とした市販後調査を通じて本薬剤の有効性の検証を行う予定です。

本公募事業には、当社に加え、国立大学法人九州大学（以下、「九州大学」と言います。）や国立大学法人東京大学（以下、「東京大学」と言います。）等、複数の医療機関、研究機関、企業が参画予定です。九州大学は、脳卒中の患者さんに関する臨床データを多施設共

同脳卒中データベース（FSR）として長年にわたり蓄積してきました。FSRでは、年間約1,000例（累計約17,000例）の症例登録実績があります。九州大学は、これらのレジストリ構築経験に基づき、市販後医薬品に関する調査項目の提案及びデータ自動収集システムの検討を行います。東京大学松尾・岩澤研究室は、LLMを活用した医療データ抽出方法の検討、構築の役割を担う予定です。当社は、主に脳梗塞急性期を対象疾患として、再生医療分野での医薬品開発及び市販後調査の実施の検討を行います。

このような合理的かつ実施可能性のある市販後調査のデザイン計画を示すことで、当社は、脳梗塞急性期治療薬に関する条件及び期限付承認申請・本承認への道筋が見通せるようになったと判断しました。当社は、規制当局を含めた関係者と、LLMを用いた当該レジストリが適切なデザイン及び運用により実施されることを確認後、当該申請に向け、特に有効性推定の為の達成基準が統計学的に設定できるかを中心に引き続き協議を進めてまいります。

なお、脳梗塞急性期を対象としたHLCM051は、2017年2月に先駆け審査指定制度^{※2}の対象品目に指定されました。十分な治療法が無く、介護人口も十分でない中、患者さんや患者さんのご家族への負担が増える社会問題を解決すべく、一日も早く治療薬が患者さんへ届けられる事を望んでおります。

今後の見通し

本計画の進捗による当社2025年12月期連結業績への現時点での影響はありません。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 TREASURE 試験

日本国内において脳梗塞急性期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プラセボ対照二重盲検第2/3相試験です（治験調整医師：北海道大学総長 寶金清博先生）。HLCM051は、ヘリオスの日本国内における体性幹細胞再生医薬品の開発パイプラインです。

本試験は、中程度から重度の脳梗塞の患者さん（登録時の神経症状障害度の指標であるNIHSSスコアが8から20）を対象とし、発症後18時間から36時間以内にHLCM051またはプラセボの単回静脈内投与を行いました。本試験は、48の医療機関で実施され、206名の患者さんが登録されました。また、HLCM051投与群とプラセボ投与群の患者さんの背景に偏りはありませんでした。

なお、これまでに発表されたTREASURE試験の結果をまとめますと、以下となります。

- ・主要評価項目である投与90日後のExcellent Outcomeに有意な差は示せませんでした。
- ・本剤投与後7日、30日、90日、365日と時間が経つ程、プラセボ群と比べてより強く薬剤効果が見られました。特に1年後のBI、Global Recoveryなどで示される、介護を必要とせず、自立生活が出来る患者さんの割合の増加が、統計学的有意性をもって認められました。

※2 先駆け審査指定制度

革新的医薬品・医療機器・再生医療等製品を日本で早期に実用化すべく、世界に先駆けて開発され、早期の治験段階で著明な有効性が見込まれる医薬品等を指定し、各種支援による早期の実用化を目指す制度です。薬事承認に係る相談・審査における優先的な取扱いの対象となる等、迅速な実用化を図るものです。