



Healios

2015年6月16日

1	会社概要	P2
2	事業概要	P6
3	再生医療のデファクト確立に向けて	P26

1. 会社概要

会社概要

社名	株式会社ヘリオス
本社	東京都港区浜松町2-4-1世界貿易センタービル15階
研究所	兵庫県神戸市中央区港島南町1-5-2キックセンタービル9階
従業員数	東京本社15名 神戸研究所25名（2014年9月末現在、間接雇用含む）
主な外部株主	大日本住友製薬、ニコン、渋谷工業、新日本科学、テラ、iPSアカデミアジャパン
関連会社	株式会社サイレジェン（大日本住友製薬との合併会社）

起業への想い

- **加齢黄斑変性治療法確立を初心に起業**し、難治性疾患に治療法を与えることができる製薬会社を作り上げることを決意。
- アキュメンバイオファーマを設立（後にヘリオスに事業譲渡）し、BBG250の治験を行って、DORC社（蘭）と契約を結び、**欧州全土で発売を開始**。
- その実績を高橋政代氏を擁する理化学研究所に評価頂き、加齢黄斑変性の根治治療となり得る**iPS細胞の製品化第一号**を目指し、網膜色素上皮細胞の実用化を担うことになった。

ミッション

- 「生きる」を増やす。爆発的に。

ビジョン

- iPSC再生医薬品を活用し、世界中の患者さんに治癒と希望を届ける。
- 世界中に承認販売まで自社で行う体制を構築し、
全ての人々からRespectを受けるバイオ企業を確立する。

化合物医薬品分野

▼眼科手術補助剤BBG250(製品名 ILM Blue)

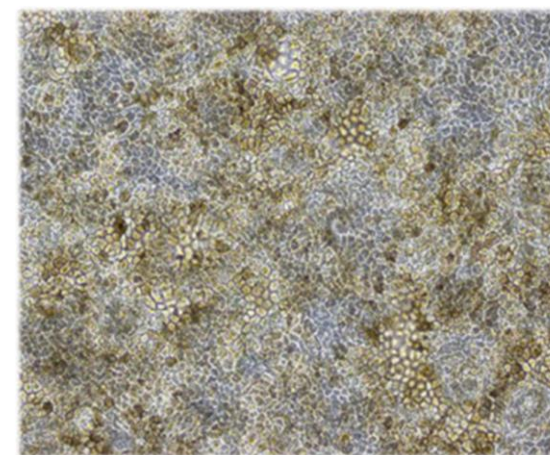


販売中

- 欧州ですでに販売中
- 日・米においても提携先が治験を進める

iPSC再生医薬品分野

▼ iPS細胞由来のRPE細胞



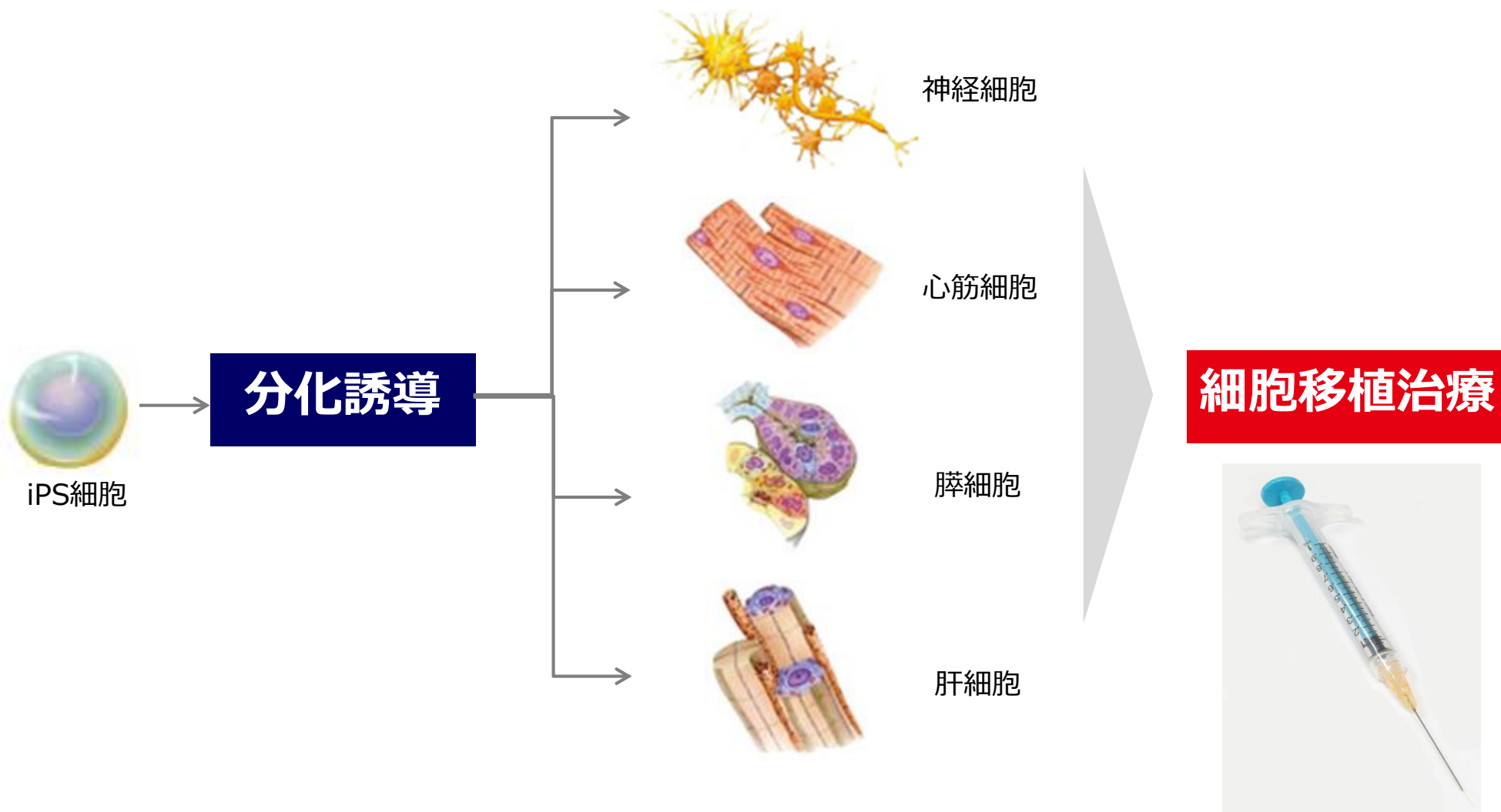
開発中

- iPS細胞→正常なRPE細胞を作る
- 老化した細胞を置換→AMDを治療

2. 事業概要

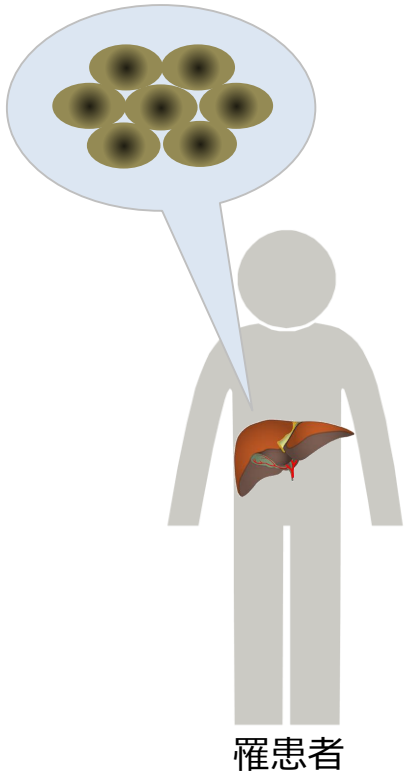
- ▶ Step 1 加齢黄斑変性をiPS細胞で治療する
- Step 2 AMDについて
- Step 3 RPE細胞医薬品の収益性
- Step 4 RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー
- Step 5 RPE細胞医薬品の実現可能性

iPS細胞から「正常な細胞」を作り出す

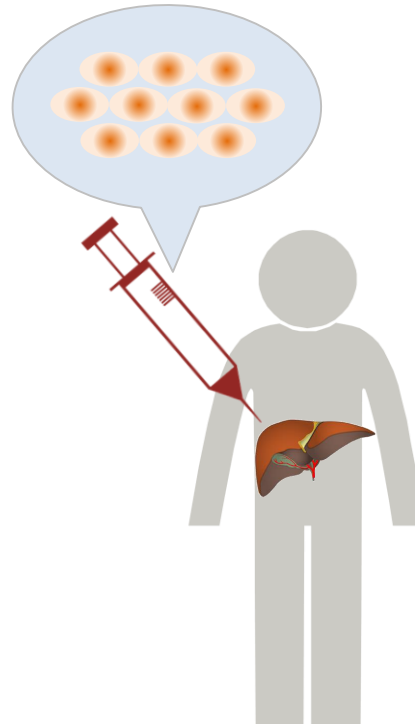


正常な細胞で、損傷した細胞を置き換える

老化や疾患、事故で
損傷した組織（細胞）

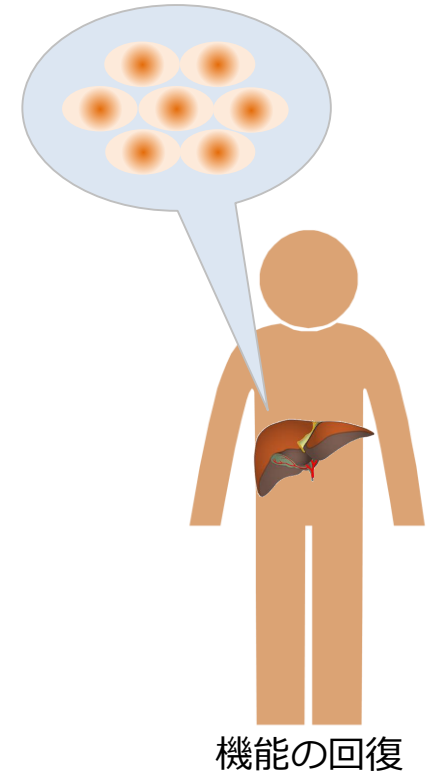


iPSC再生医薬品
iPS細胞から作られた目的細胞

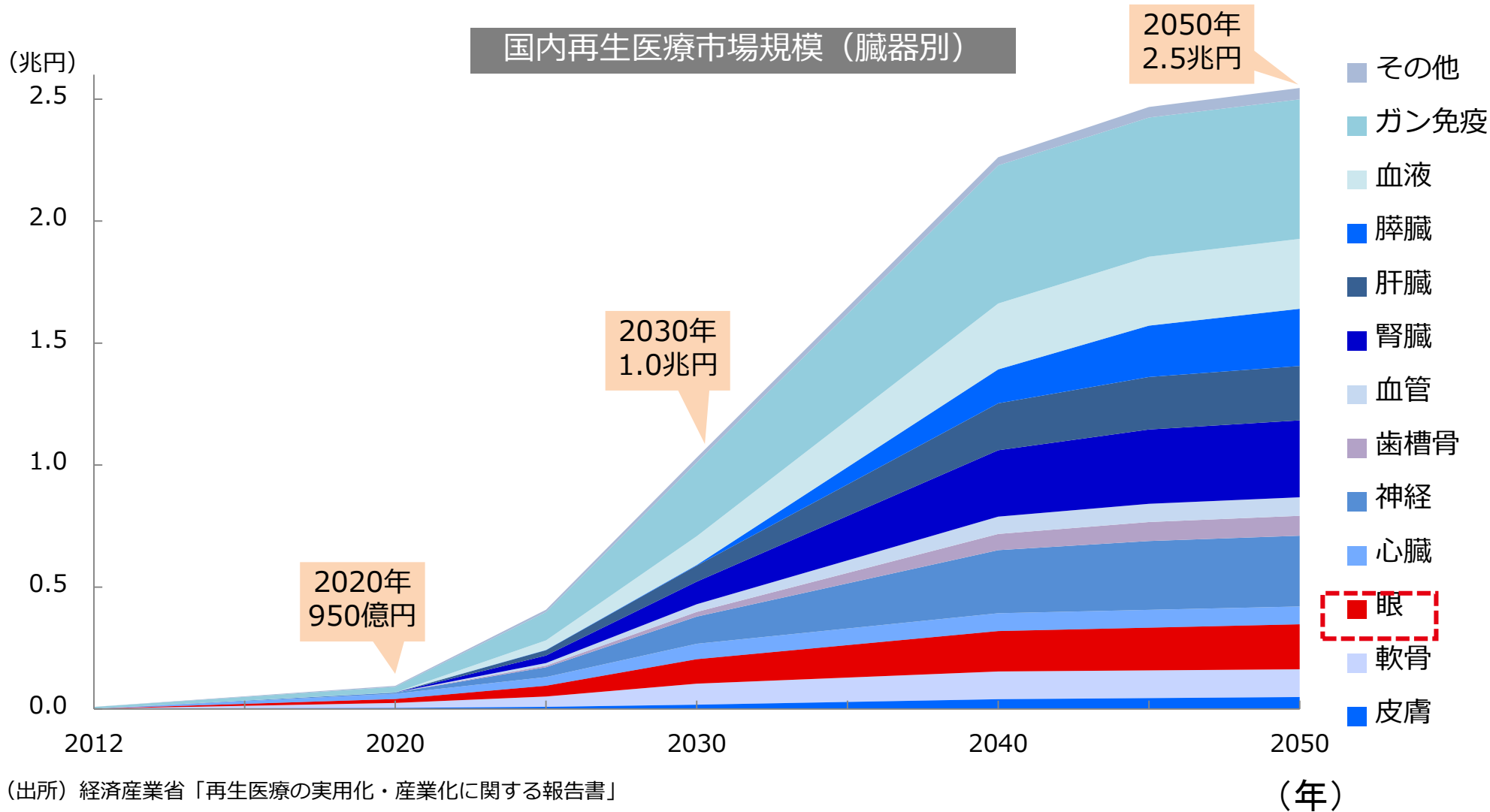


損傷した組織（細胞）を
iPSC再生医薬品で置き換える

置換



再生医療市場は軟骨から眼、さらに臓器等へと進むと予想される



一歩目として加齢黄斑変性(AMD)の治療を目指す

加齢黄斑変性の症状の一例



RPE細胞の老化が原因で、視野がゆがんだり見えなくなったりする

(出所)日本眼科学会HPより抜粋

2. 事業概要

Step 1

加齢黄斑変性をiPS細胞で治療する



Step 2

AMDについて

Step 3

RPE細胞医薬品の収益性

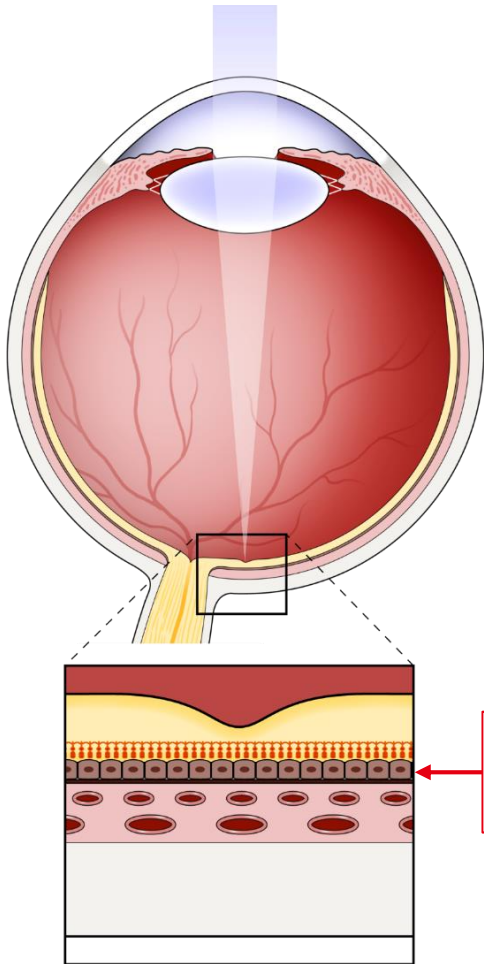
Step 4

RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

Step 5

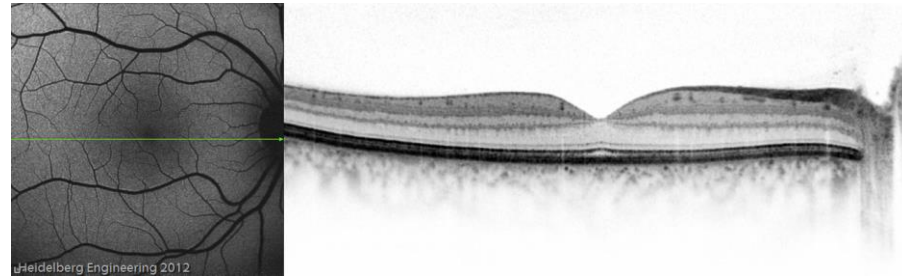
RPE細胞医薬品の実現可能性

AMDを発症するとRPE細胞の機能が低下する

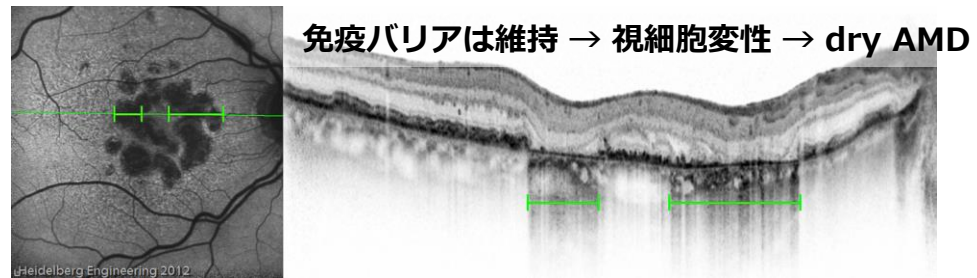


網膜色素上皮細胞
(RPE)

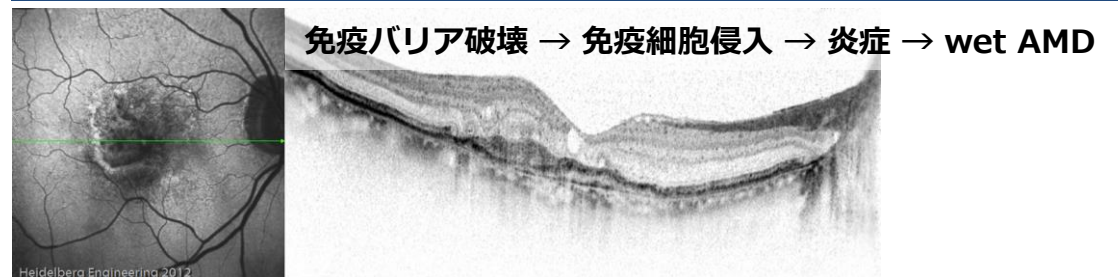
正常黄斑部



進行したDry AMD



Wet AMD



2. 事業概要

Step 1

加齢黄斑変性をiPS細胞で治療する

Step 2

AMDについて

▶ Step 3

RPE細胞医薬品の収益性

Step 4

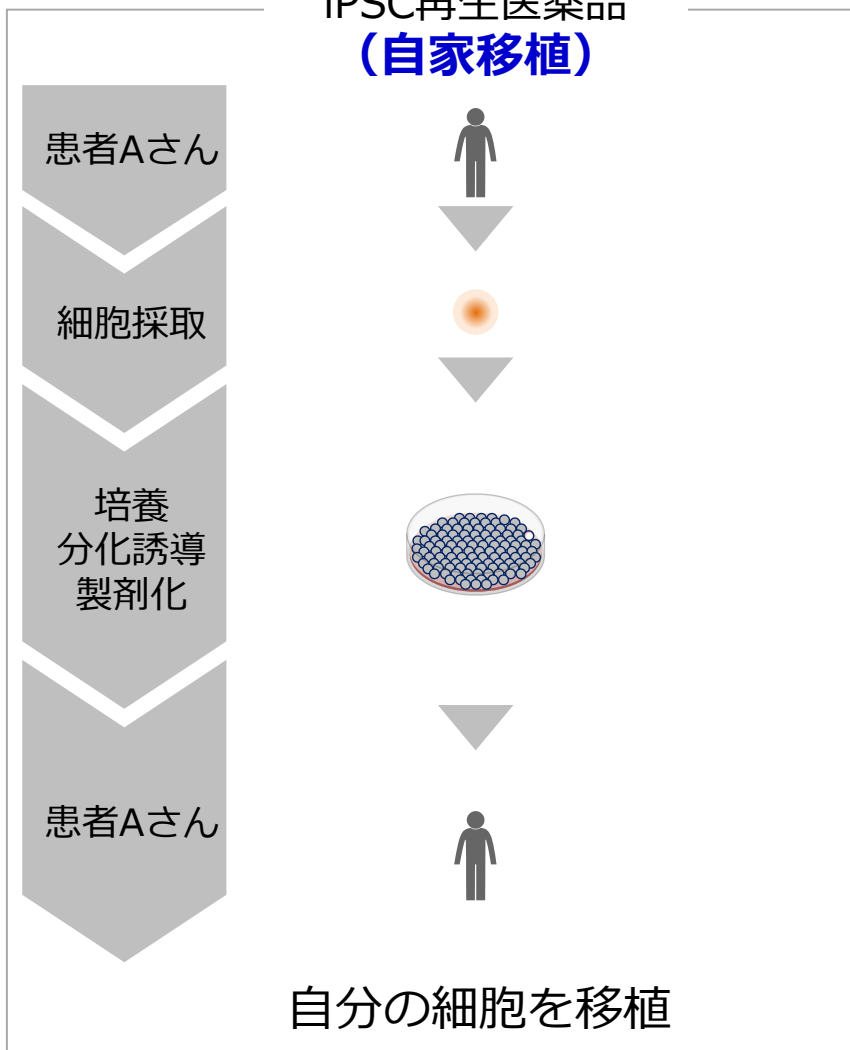
RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

Step 5

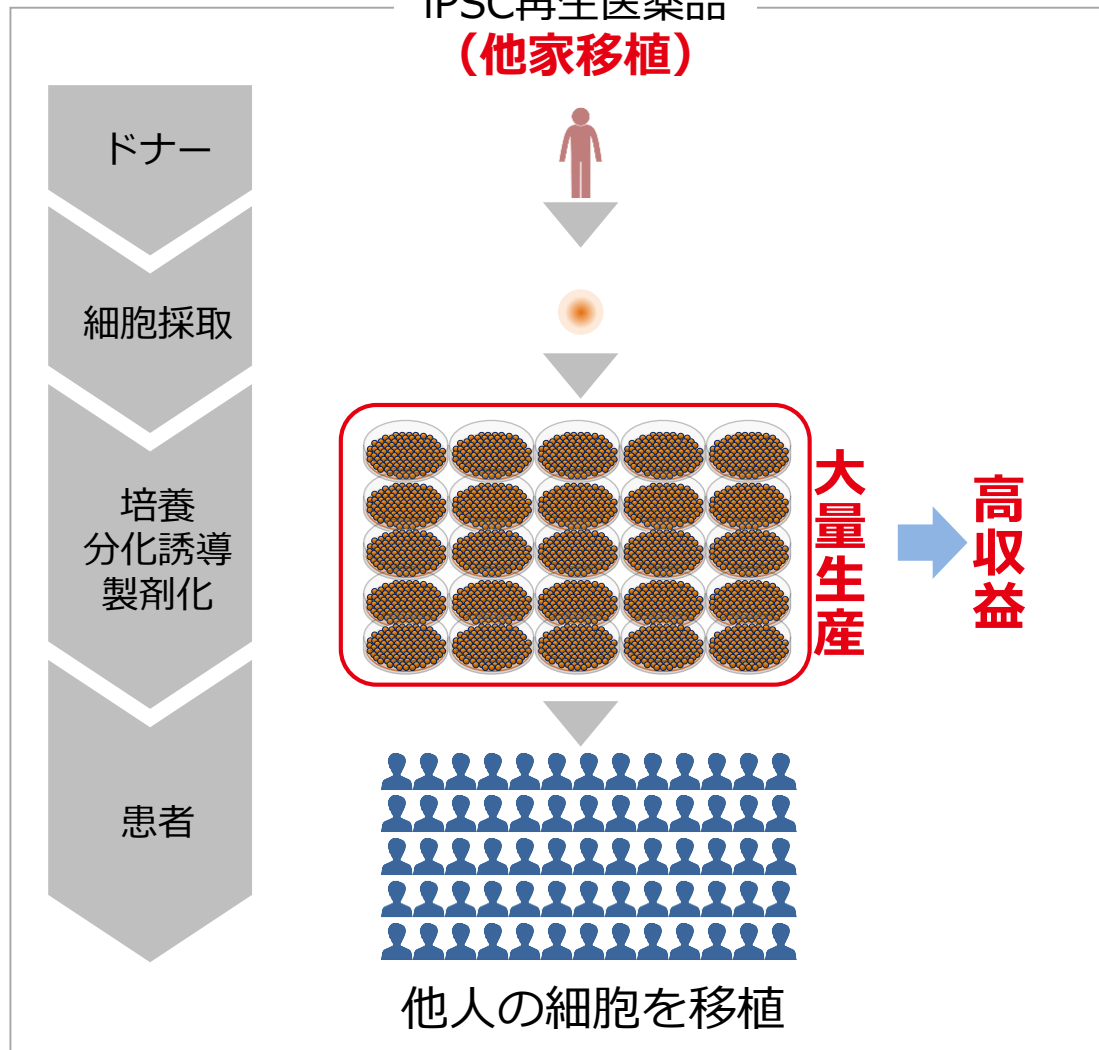
RPE細胞医薬品の実現可能性

当社は収益性の高い他家再生医療を手がける

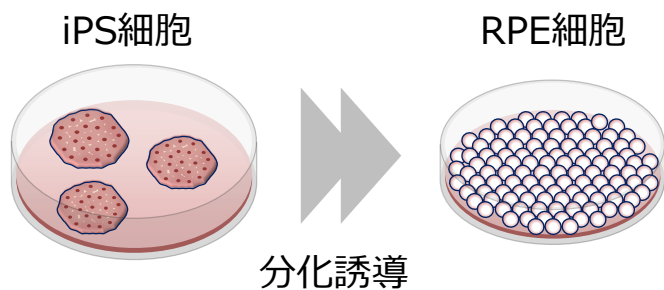
iPSC再生医薬品
(自家移植)



iPSC再生医薬品
(他家移植)



理化学研究所の培養方法をベースに、当社独自の改良を行い生産効率を大幅に改善

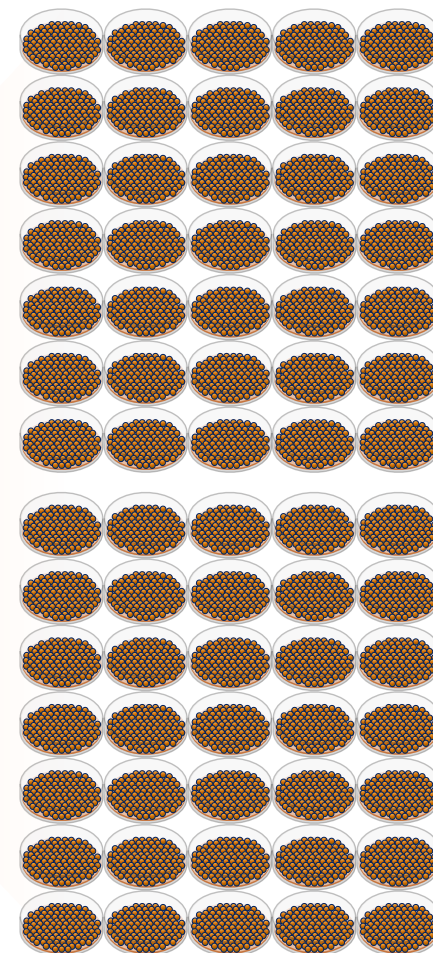


大幅に生産効率を向上

培養



▲細胞培養センター(CPC)における培養風景



大日本住友製薬との提携により国内バリューチェーンは整った

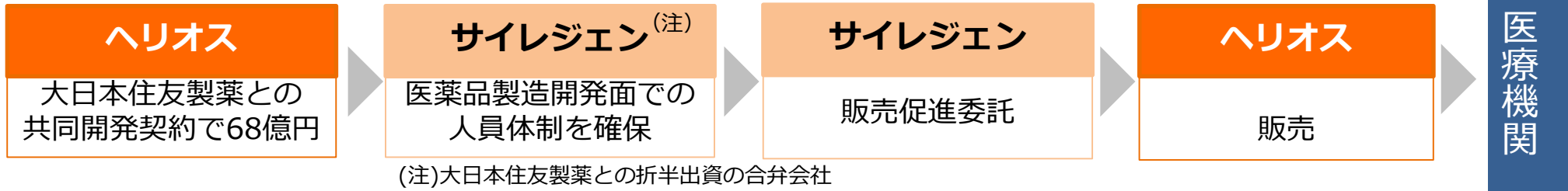
開発

製造

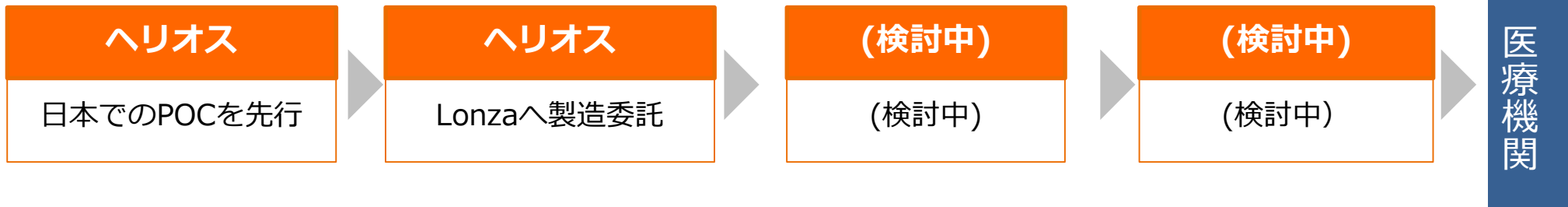
マーケティング

販売

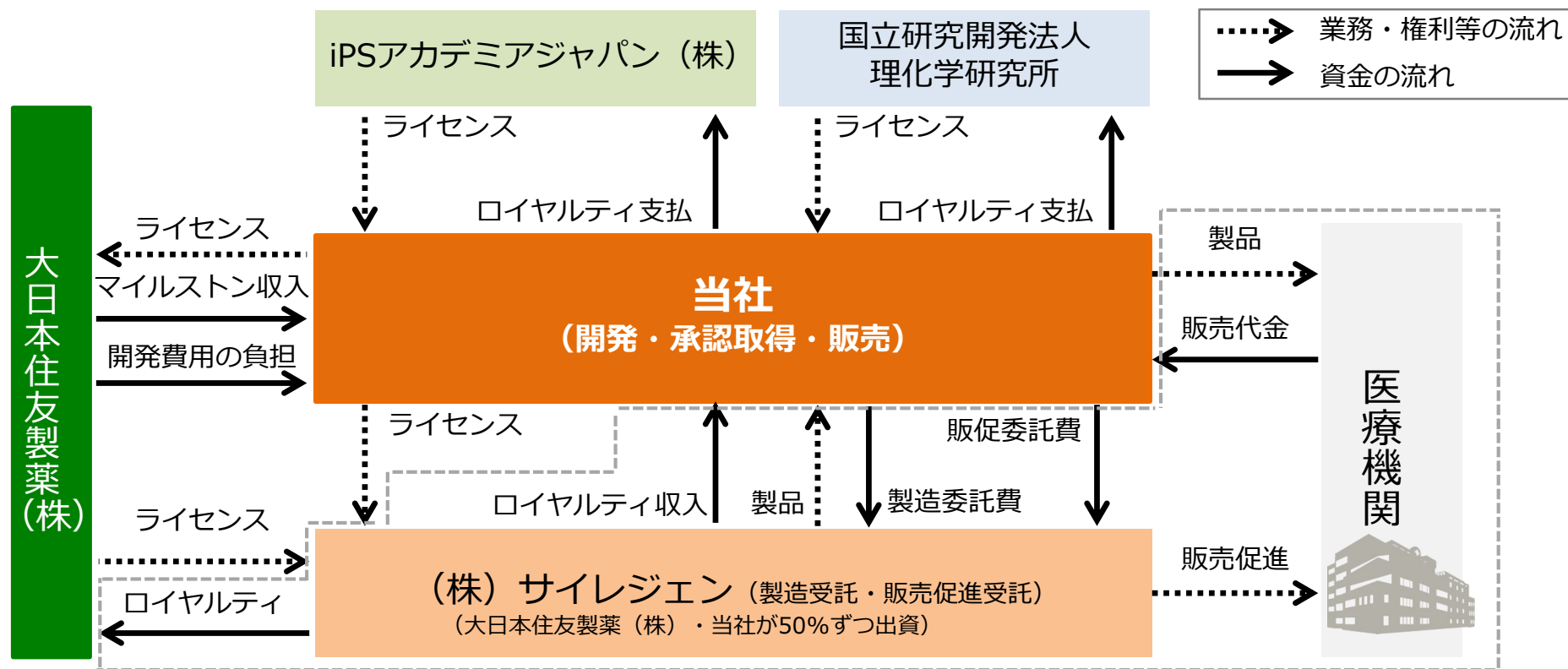
● 国内での開発・販売・製造体制は確立の目途がたった



アライアンスを構築し、欧米市場を戦略的に開拓してゆく



ライセンスアウト型ではない自社販売モデル



(注) 点線の囲み ([]) は、製造販売承認 (条件付承認を含む) 取得後に発生する流れになります。現在、開発期間の初期にあたる前臨床段階にあり、製造販売承認取得までには長い年月が必要となります。

2. 事業概要

Step 1

加齢黄斑変性をiPS細胞で治療する

Step 2

AMDについて

Step 3

RPE細胞医薬品の収益性




▶ Step 4

RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

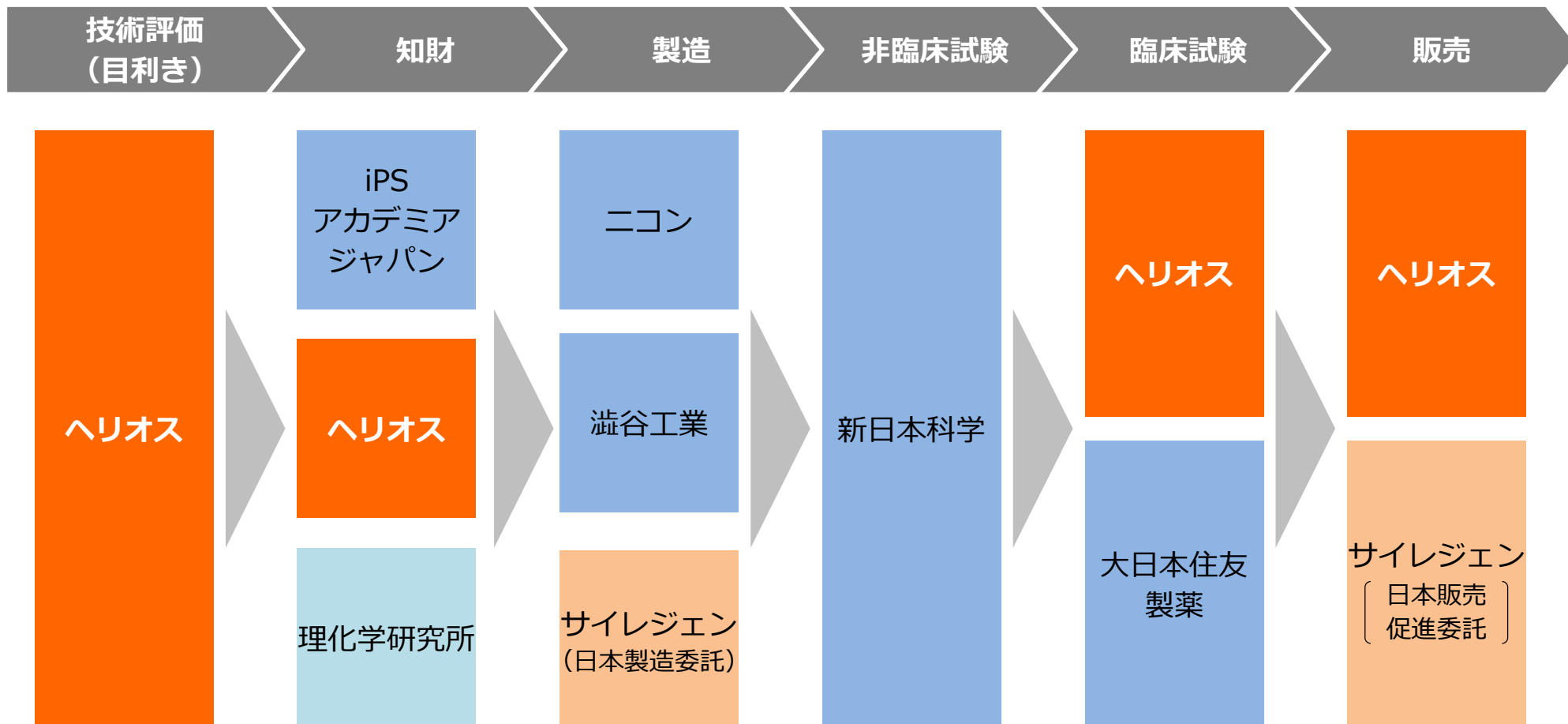
Step 5

RPE細胞医薬品の実現可能性

日本で開発を先行し、欧米でも前臨床試験を進める。

製品	市場	適応症	前臨床試験	臨床試験			申請 ~承認	上市	進捗状況
RPE細胞	日本	Wet AMD							前臨床試験実施中
	市場	適応症	前臨床試験	第I相試験	第II相試験	第III相試験	申請 ~承認	上市	進捗状況
	米国	Dry AMD							製造のための技術移管
	欧州	Dry AMD							米国第III相試験からのグローバル治験を検討中

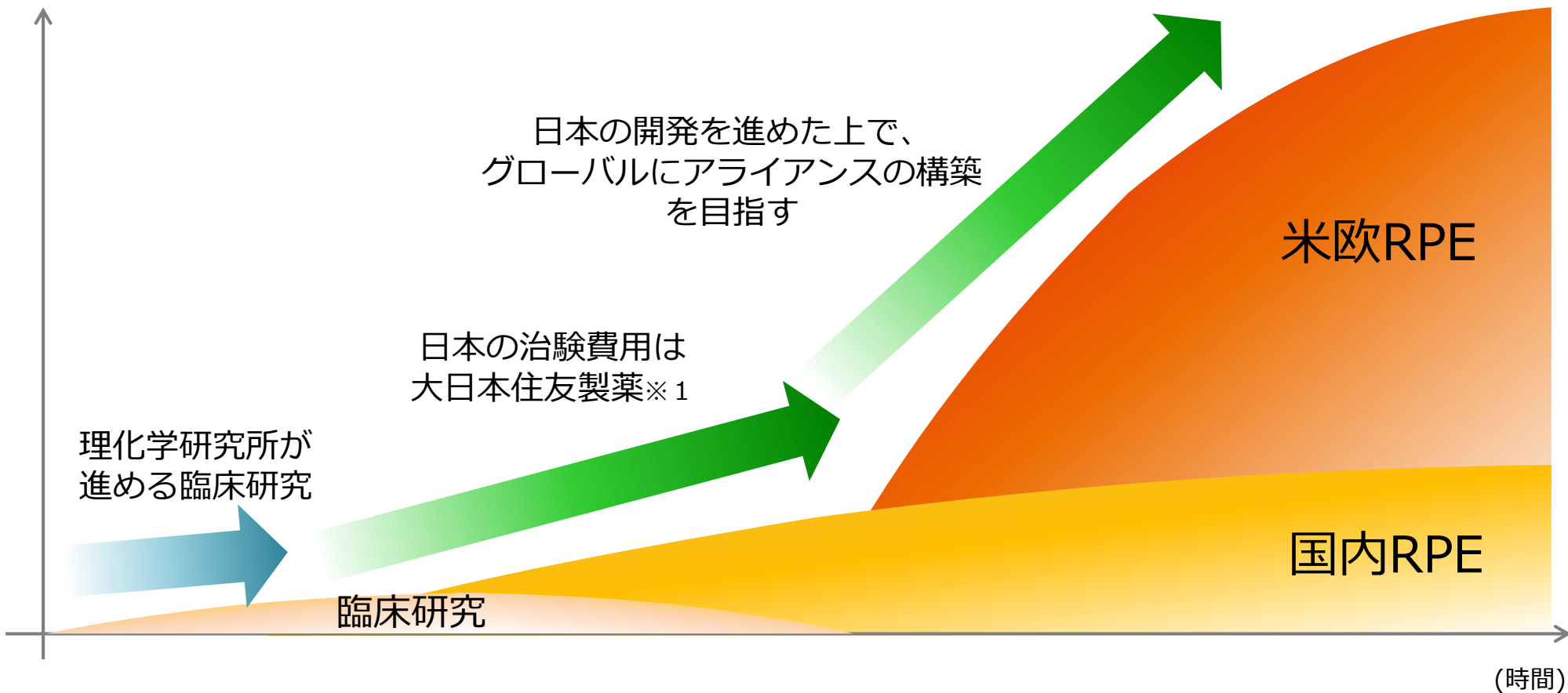
世界で勝てる要素技術を持つ会社とオールジャパンの強固なパートナーシップを構築



(注) 1. (■) は当社の株主
 2. サイレジェンは大日本住友製薬との折半出資の合弁会社

日本で開発を先行し開発リスクを軽減した上で、グローバルにアライアンスを構築

(企業の成長ステージ)



※1 日本の治験費用は最大68億円まで大日本住友製薬が負担

2. 事業概要

Step 1

加齢黄斑変性をiPS細胞で治療する

Step 2

AMDについて

Step 3

RPE細胞医薬品の収益性

Step 4

RPE細胞医薬品の上市に向けたストラテジー

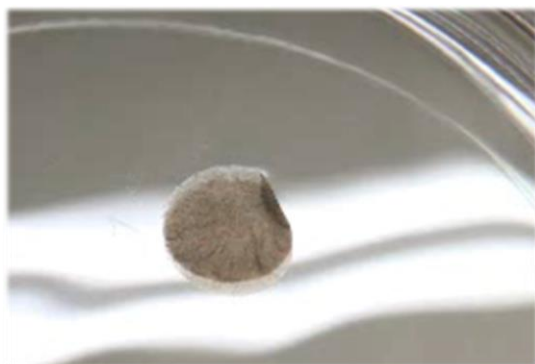
▶ Step 5

RPE細胞医薬品の実現可能性

高い培養効率を実現。さらに医薬品製造レベルでの標準化や製剤開発を進める



臨床研究実施

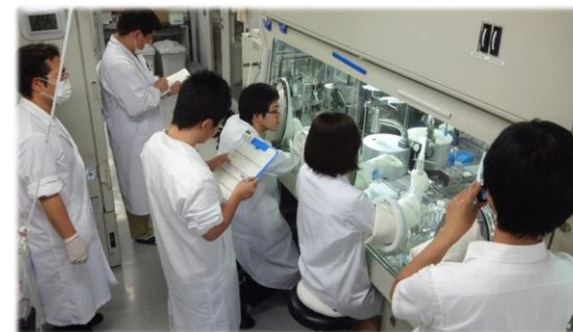
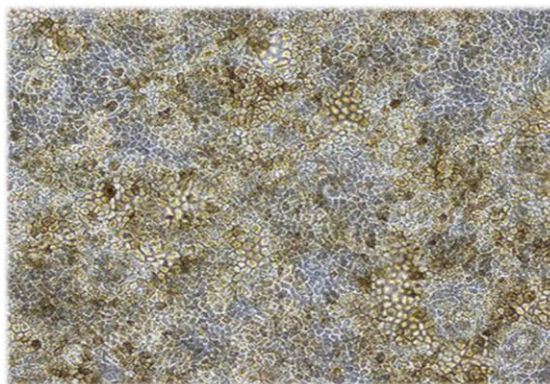


▲臨床研究用RPE細胞シート
(細胞をシート化したもの)



作業プロセスの標準化などに取り組む

▼当社が培養した人体と同等のRPE細胞



作業プロセスを記録し標準化を進める ▲

日・米・欧での開発に向けた万全の布陣を敷く

眼科のエキスパート



代表取締役
鍵本 忠尚

- BBGの開発に成功し、欧州全土での販売を実現

加齢黄斑変性のエキスパート



取締役 開発領域管掌
アル・リーブス

- ルセンティス承認時、ノバルティスにてグローバル開発責任者（米国を除く）

免疫抑制剤開発のエキスパート



取締役 神戸研究所長
田村 康一

- アステラス米国研究所長
- 免疫抑制研究に精通

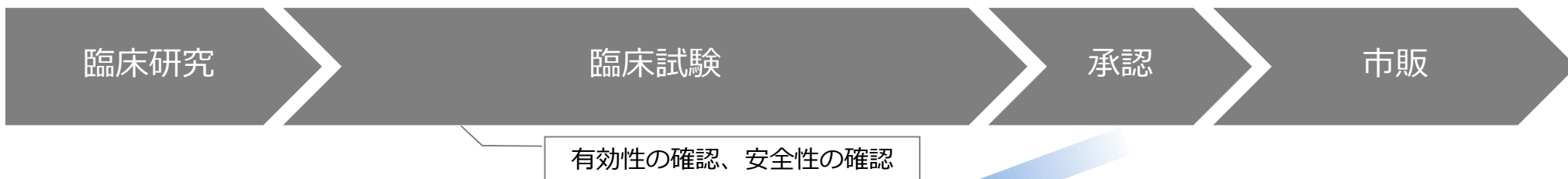


社外取締役
西山 道久

- アステラスにて米国・欧州でタクロリムス承認・販売網の構築

日本政府は世界最先端の規制を整えた

これまでの開発プロセス



早期承認制度を導入した開発プロセス



- 早期承認制度では治験期間・症例数（数十症例程度）は**大幅に減少**
- 早期承認時から**保険収載**される

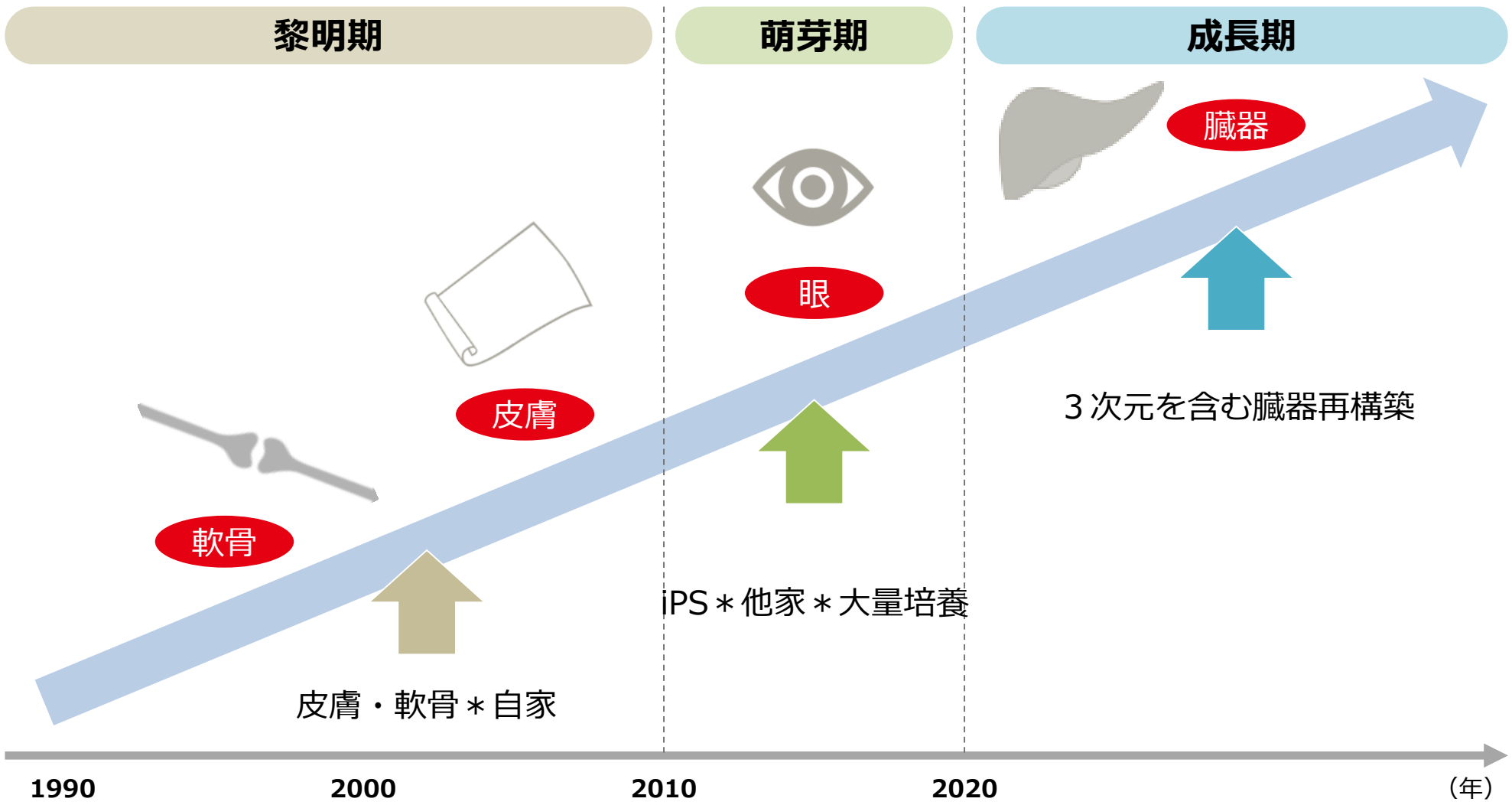
3. 再生医療のデファクト確立に向けて

3次元臓器の構築が可能になれば市場はさらに拡大

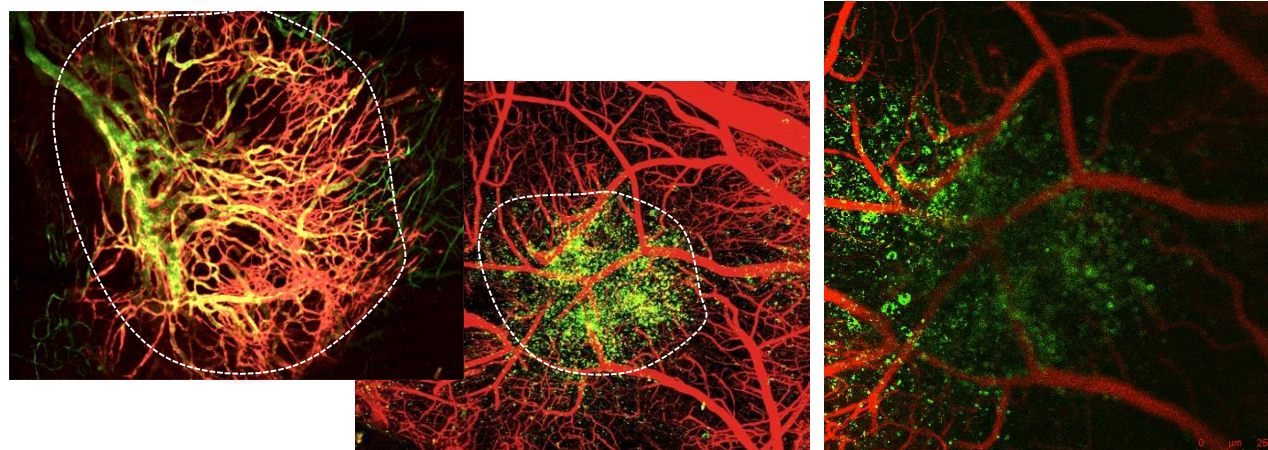
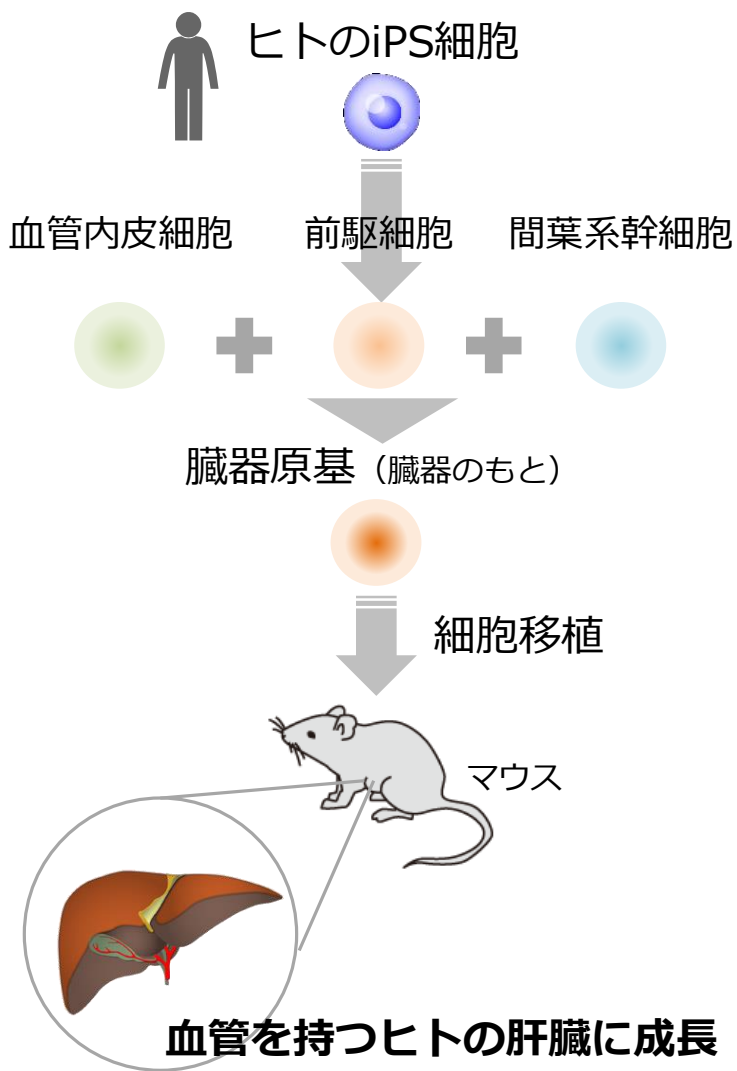
黎明期

萌芽期

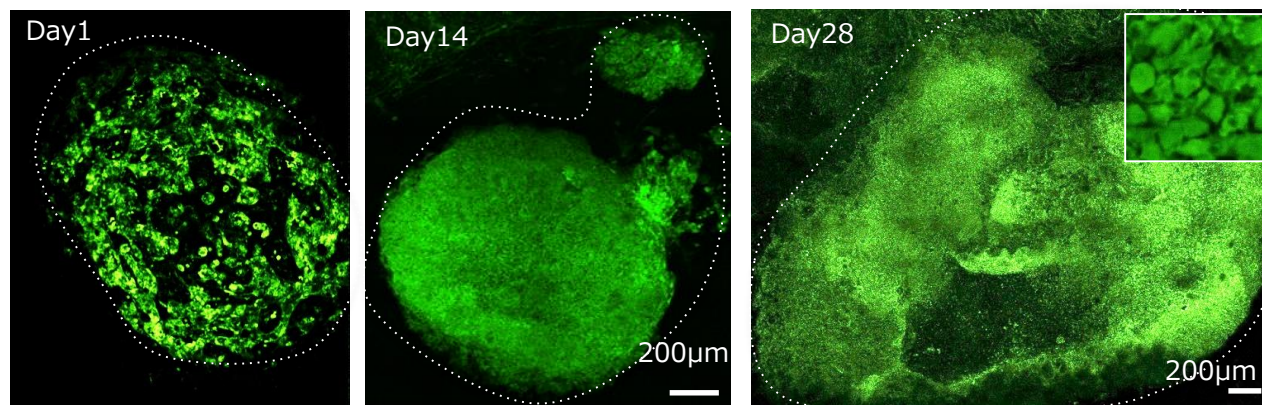
成長期



マウスの体内でヒトの肝臓・腎臓の形成に成功～血管網の形成が鍵



▼マウス体内に移植されたヒト肝臓原基の形成過程



(出所) Takebe, T., et al. Nature Protocols, 9, 396–409 (2014)

さらなる効率化に向けて澁谷工業、ニコンと提携して自動培養化装置の開発を進める



▲澁谷工業の製造する自動培養化装置（培養を自動化）

急速に立ち上がる新産業において中核的な立場を獲得しさらに前進

移植医療に対する深い理解と経験

- 医療現場や対象疾患に関する知見
= メディカルニーズ × 大市場の的確な把握

知財（特許・細胞培養ノウハウ）

- 目的細胞樹立方法の確立
- 産業レベルの効率的な培養方法の確立

ものづくり（医薬品の安定製造ノウハウ）

- 大日本住友との提携により迅速に導入
- 自動培養化への取り組み



世界へ

iPSC再生医薬品

iPS細胞を分化させて作製した人体組織と同等の機能を持つ治療医薬品。

加齢黄斑変性 (AMD)

加齢などの理由により眼内に中心部にある黄斑部が変性し、視覚に障害が発生する疾患。症状からWet型とDry型に大別される。

網膜色素上皮細胞 (RPE細胞)

網膜の外側にある一層の細胞で、眼内で栄養補給や老廃物の分解などを担っている。RPE細胞の老化によりAMDが発症する。

自家移植

罹患者の体からとった細胞を培養して増やし、同一の罹患者の疾患部位に戻す方法。培養効率に課題がある。

他家移植

事前に提供者からとった細胞を培養して製品として保管し、別の罹患者に投与する方法。このため種となる細胞から大量に培養が可能。