ヘリオス

4593 東証マザーズ

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

2016 年 3 月 11 日（金）

Important disclosures
and disclaimers appear
at the back of this document.

企業調査レポート
執筆　客員アナリスト
佐藤　譲

企業情報はこちら >>>

■iPS 細胞を用いた再生医薬品開発のパイオニア

ヘリオス <4593> は、iPS 細胞を用いた再生医薬品開発のパイオニア企業で、2015 年 6 月に東証マザーズに上場した。加齢黄斑変性治療薬の開発を進めているほか、早期収益化と技術的なシナジー獲得を目的に、米バイオベンチャーの Athersys, Inc.（以下、アサーシス）とライセンス契約を締結し、アサーシスが開発した脳梗塞治療薬の国内での開発・販売を目指していく。また、横浜市立大学と共同研究している 3 次元臓器（肝臓）の開発が実現すれば、iPS 細胞を用いた再生医療製品の市場が一気に拡大するものとして注目されている。

同社は理化学研究所（以下、理研）から iPS 細胞由来の RPE 細胞（網膜色素上皮細胞）の作製に関する技術ライセンス導入を行い、他家 iPS 細胞由来の加齢黄斑変性治療薬の開発を進めている。現在は前臨床試験の段階だが、2017 年後半以降に臨床試験を開始し、約 3 年後の承認申請を目指している。また、海外では 2016 年内にも開発販売パートナーを決定し、共同開発を進めていく方針となっている。加齢黄斑変性治療薬では理研で自家 iPS 細胞由来の RPE 細胞を用いた臨床研究として、世界で初めて患者への RPE 細胞シートの移植が 2014 年 9 月に実施され、現在まで再発はなく視力も安定するなど良好な結果を得られているだけに、期待度も高まっている。

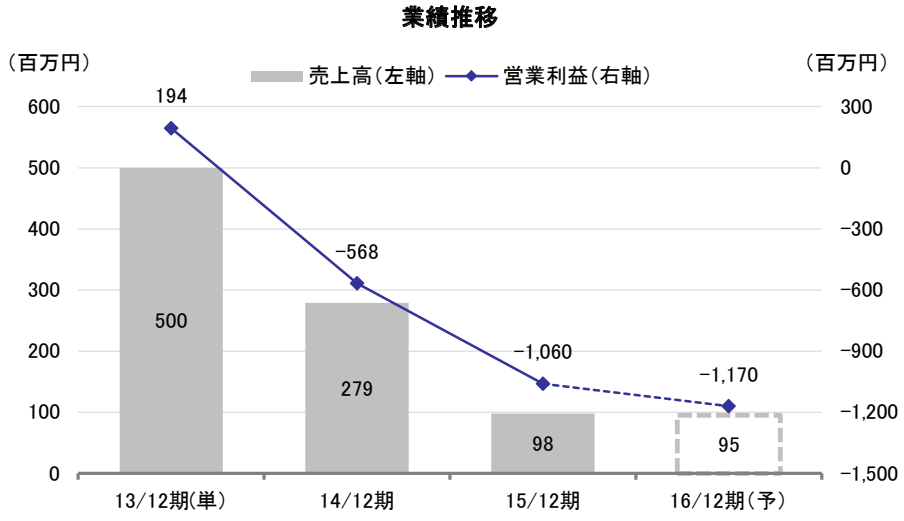
アサーシスの脳梗塞治療薬は発症後 36 時間以内に投与することで、その後の症状改善に寄与する治療薬を目指している。従来の治療法（血栓溶解療法で発症後 4.5 時間以内、機械的血栓回収療法で同 8 時間以内）と比較して治療可能時間が長いことから、上市されれば脳梗塞治療において大きな変革になるものとして期待されている。2016 年 2 月に米国で発表された国際第 2 相臨床試験の結果によれば、安全性・有効性ともにプラセボ群との明確な有意差が確認されている。同社は条件付き早期承認制度を活用して 2016 年後半に臨床試験を開始し、2020 年頃の上市を目指していく。国内で脳梗塞発症後 36 時間以内に治療可能な患者数は年間約 6.2 万人と推計されている。治療薬の薬価が数百万円とすれば少なくとも 1,000 億円以上の市場規模が見込めることになる。同社はアサーシスに契約一時金 15 百万ドル及び開発マイルストーン最大 30 百万ドル、売上高に対するロイヤルティ率 10 数 % を支払う契約となっているが、上市されればこれら費用を十分回収できるとみられる。

2015 年 12 月期（2015 年 1 月－12 月）の売上高は前期比 64.9% 減の 98 百万円、営業損失は 1,060 百万円（前期は 568 百万円の損失）となった。マイルストーン収入 200 百万円がなくなったことや、研究開発費が増加したことが営業損失の拡大要因となった。また、2016 年 12 月期に関しては海外での契約交渉や国内での脳梗塞治療薬の臨床試験開始など流動的な要素が多いことから、業績予想の開示を行っていない。ただ、当面は研究開発費の負担が先行するため損失が続く見通しで、収益が本格的に成長期に入るのは開発パイプラインの上市が見込まれる 2020 年以降となる見通しだ。

■Check Point

- 3 次元臓器の開発に期待
- アサーシスの幹細胞製品 MultiStem を使った脳梗塞治療薬の国内での上市を目指す
- 眼科手術補助剤の「BBG」は上市済み

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。



■会社概要

2015 年 6 月に東証マザーズに上場

(1) 会社沿革

同社は 2011 年に現代表取締役社長の鍵本忠尚（かぎもとただひさ）氏らによって設立された iPS 細胞を用いた再生医療製品を開発するバイオベンチャーである。鍵本氏は眼科医であったが、根治療法がない加齢黄斑変性を治したいという想いで、創薬ベンチャーであるアキュメン株式会社を設立。その後、日本発の技術を基にした新しい眼科手術補助剤「BBG」の開発に成功し、欧州においてサブライセンス先を通じた販売を行うなどの実績を挙げた。この実績をきっかけとして、理研が中心となって研究を進めていた iPS 細胞を用いた加齢黄斑変性の新たな治療法の実用化を担うこととなり、株式会社ヘリオスの設立に至っている。

2012 年に京都大学の山中伸哉（やまなかしんや）教授がノーベル生理学・医学賞を受賞して以降、iPS 細胞の認知が一気に向上したが、同社はノーベル賞受賞前から iPS 細胞の実用化に向けた取り組みを始めていた。2013 年に iPS アカデミアジャパン（株）との特許実施権許諾契約を締結したほか、理研とも iPS 細胞由来の RPE 細胞（網膜色素上皮細胞）を用いた再生医療製品にかかる独占的特許実施権許諾契約を締結、また、大日本住友製薬 <4506> と国内における iPS 細胞由来の RPE 細胞移植による加齢黄斑変性治療法に関する共同開発契約を締結するなど、事業化に向けた環境整備を一気に進めていった。

2014 年には大日本住友製薬と RPE 細胞の製造と販売促進を担う合弁会社、(株)サイレジェンを設立（出資比率 50%）したほか、iPS 細胞から 3 次元臓器を創出する研究を行っている横浜市立大学との共同研究も開始している。また、2016 年 1 月には幹細胞 MultiStem を用いた脳梗塞治療薬の開発を進めているアサーシスとライセンス契約を締結し、早期収益化に向けた新たな取り組みも開始している。

会社沿革

年月	主な沿革
2011年 2月	福岡県福岡市に(株)日本網膜研究所(現(株)ヘリオス、本社:東京)を設立
2013年 2月	iPSアカデミアジャパン(株)との間で網膜色素上皮細胞を有効成分として含有する細胞製品に関するiPS細胞樹立基本技術に関する特許実施権許諾契約(非独占)を締結
2013年 3月	(独)理化学研究所(現 国立研究開発法人理化学研究所)との間でiPS細胞を含む多能性幹細胞由来網膜色素上皮細胞を用いた再生医療製品に係る独占的特許実施権許諾契約を締結
2013年 7月	(株)新日本科学と前臨床分野における業務提携契約を締結
2013年12月	大日本住友製薬(株)と国内におけるiPS細胞由来網膜色素上皮細胞移植による加齢黄斑変性治療法の開発に関する共同開発契約、実施許諾契約及び合弁契約を締結
	アキュメン(株)より眼科手術補助剤に関する事業の譲受
2014年 2月	大日本住友製薬(株)と合弁で(株)サイレジェンを設立
2014年10月	横浜市立大学とiPS細胞等を用いた再生医療等製品(3次元臓器)に関する共同研究を開始
2015年 6月	東京証券取引所マザーズに株式を上場
2016年 1月	米Athersys社と国内における幹細胞MultiStemを用いた再生医療製品に関するライセンス契約を締結

出所 : 目論見書、会社 HP よりフィスコ作成

(2) 事業体制

現在の事業体制を分野別に整理すると、iPS 細胞を用いた再生医薬品分野では、iPS アカデミアジャパン、理研からライセンス導入を行い、国内市場では大日本住友製薬と共同開発、前臨床試験は新日本科学と行っている。また、海外市場での事業展開に関しては、スイスの Lonza と 2015 年に細胞の製造委託契約を締結し、技術移転を完了しており、開発販売については 2016 年内にパートナー企業を決定し契約を締結することを目指している。また、3 次元臓器の開発においては、横浜市立大学と共同研究を進めている。そのほか、次世代の細胞製造技術となる自動培養装置に関して澁谷工業 <6340>、ニコン <7731>、大阪大学と共同開発を行っている。

体性幹細胞を用いた再生医療分野では、2016 年 1 月にアサーシスとライセンス契約し、国内での脳梗塞治療薬の開発販売について同社が進めていく計画となっている。販売については独自で展開することを基本としつつも、パートナー企業を決定し、サブライセンス契約を締結することも選択肢の 1 つとして考えている。

一方、化合物医薬品分野においては現在、欧州で販売されている眼科手術補助剤「BBG」がある。同製品は九州大学の研究グループが発見した染色性の高い色素を基に開発したもので、産学連携機構九州よりライセンス導入し、海外市場ではオランダの DORC（Dutch Ophthalmic Research Center International B.V.）に、国内市場ではわかもと製薬 <4512> にそれぞれサブライセンスを供与している。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

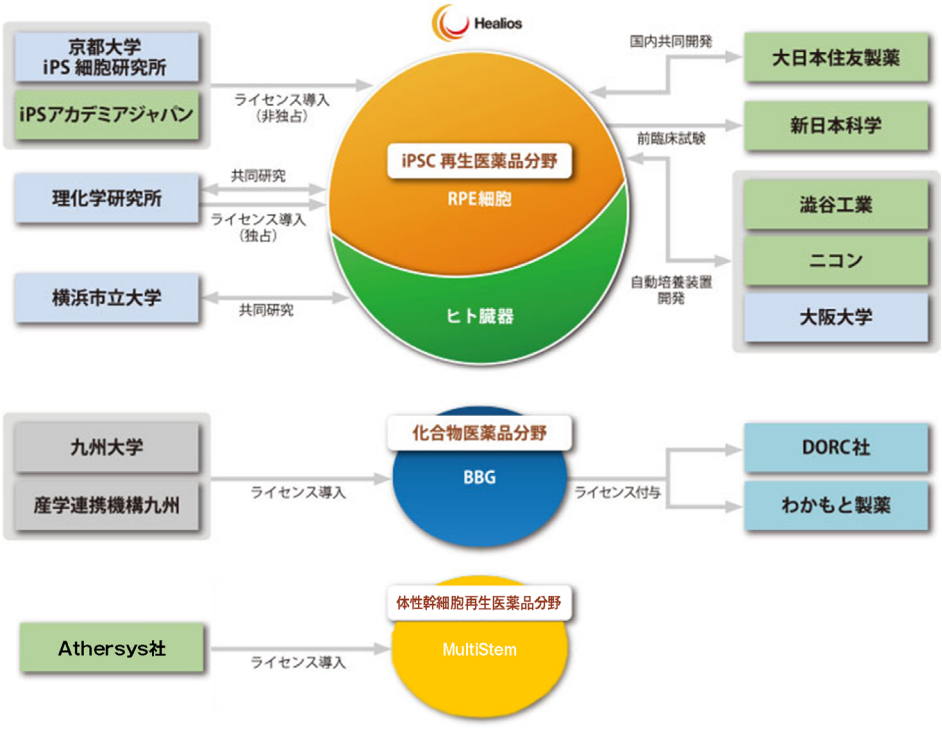
FISCO

ヘリオス
4593 東証マザーズ

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

2016 年 3 月 11 日（金）

事業体制



■開発パイプラインについて

3 つの分野において開発を進める

同社の開発パイプラインは現在、iPS 細胞再生医薬品、体性幹細胞再生医薬品、化合物医薬品と 3 つの分野において開発を進めており、現在上市されているものとしては、欧州市場向けの眼科手術補助剤「BBG」のみとなっている。

開発パイプラインと進捗状況

事業分野	適応症	市場	前臨床試験	第1相試験	第2相試験	第3相試験	申請～承認	上市	進捗状況と今後の予定
iPS細胞再生医薬品	ｳｪｯﾄ型AMD	日本	→						前臨床試験実施中、2017年後半以降に臨床試験開始目指す
	ﾄﾞﾗｲ型AMD	米国	→						製造技術移管完了、2016年に開発販売パートナー選定
	ﾄﾞﾗｲ型AMD	欧州	→						米第3相試験からのグローバル治験を検討中
	代謝性肝疾患	日本	→						横浜市立大と共同研究
体性幹細胞再生医薬品	脳梗塞	日本	→						2016年後半に臨床試験着手予定
化合物医薬品	硝子体手術	日本	→	→	→	→			わかもと製薬にて開発中
	白内障手術	日本	→	→	→				ライセンス先決定後、速やかに開発を進める
	内境界膜剥離	欧州	→	→	→	→	→	→	販売中
	内境界膜剥離	米国	→	→	→				DORC社にて開発中

注：AMD（Age-releted Macular Degeneration、加齢黄斑変性）
出所：決算説明会資料

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

3 次元臓器の開発に期待

(1) iPS 細胞再生医薬品

○加齢黄斑変性治療薬

iPS 細胞再生医薬品の分野では、加齢黄斑変性治療薬の開発を進めている。加齢黄斑変性とは目のアルツハイマー病とも呼ばれ、加齢によって網膜の中心部である黄斑部に障害が生じ、モノが見えにくくなる病気のことを指す。よって患者の年齢層は 50 代以上が圧倒的に多い。加齢黄斑変性の原因は、黄斑部において視細胞に栄養を送る RPE 細胞（Retinal Pigment Epithelium：網膜色素上皮細胞）が加齢により変性し、その機能が損なわれることによって引き起こされる。当初は視力が低下したり、モノの見え方がゆがんで見えるなどの症状が現れ、重症化すると失明にまで至る病気である。重症化した場合は、滲出型（ウェット型）と委縮型（ドライ型）に分かれるようになる。滲出型とは、RPE 細胞の機能が損なわれることで、その代わりに視覚細胞に栄養を送ろうとする新生血管が発現し、出血などを引き起こすことで視細胞の機能が損傷し、視力機能が著しく低下してしまう症状を指す。加齢黄斑変性で失明まで至る患者の大半は滲出型の患者となっている。一方、委縮型は老化による炎症が RPE 細胞で起こり、RPE 細胞とともにその上部にある視細胞の機能が失われることで、視力障害を引き起こすタイプとなる。

現在、こうした重度の加齢黄斑変性の罹患者数は米国で 200 万人、日本で 69 万人、欧州他で 260 ～ 320 万人いると推計されており、このうち滲出型の罹患者数の比率は欧米で過半、日本で 9 割を占めている。

加齢黄斑変性罹患者数

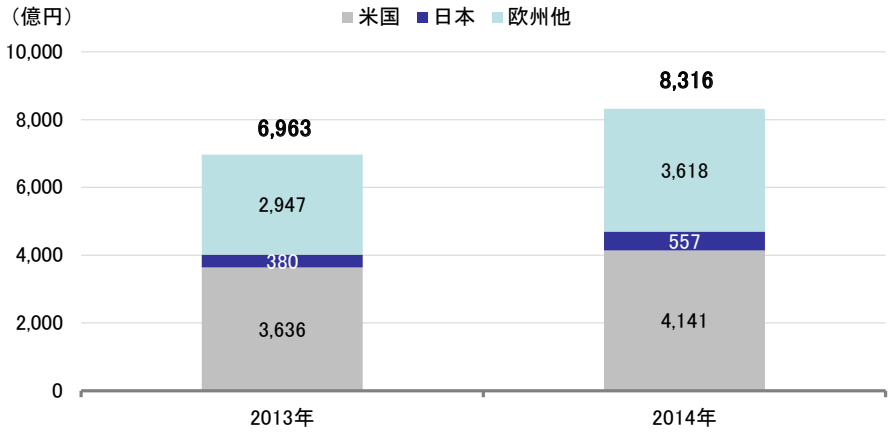
	米国	日本	欧州他
総罹患者数	1,000 万人	923 万人	1,300 万人
うち重度の罹患者数	200 万人	69 万人	260 ～ 320 万人
滲出型（ウェット型）	100 ～ 150 万人	63 万人	130 ～ 195 万人
委縮型（ドライ型）	85 ～ 90 万人	6 万人	110 ～ 117 万人

出所：決算説明会資料

また、現在治療薬としては滲出型で新生血管の発現を抑制するための抗 VEGF 治療薬があるのみで、委縮型については治療薬がない。また、抗 VEGF 治療薬に関しても、根治療法ではなく、12 ヶ月以内に再発する可能性が約 92% と高い。このため継続的に投薬治療を行う必要があり、患者負担も大きくなっている。例えば、抗 VEGF 薬の薬価は約 17 万円で年間投与回数は 6 回が推奨されていることから、年間治療費は約 102 万円（日本では患者負担約 3 割）となる。60 歳で発症し、治療期間が 20 年間とすれば合計で約 2,000 万円かかる計算となり、治療費は膨大な額となる。実際、抗 VEGF 薬の世界の市場規模は 2014 年で 8,000 億円を超えており、眼疾患の治療薬の中では最大の市場規模となっている。同疾患は加齢によって発症するため、今後の高齢化社会の進展によって罹患者数も増加傾向が続くことが予想される。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

加齢黄斑変性治療薬の市場規模



注：適用拡大分を含む
出所：決算説明会資料

こうしたなかで同社が開発を進めている治療薬は、他家 iPS 細胞から分化誘導させて作った RPE 細胞を含んだ懸濁液を眼球注射によって黄斑部の網膜下に注入し、機能が低下した RPE 細胞を新たな PRE 細胞に置き換えることで、視力機能を正常化する根治療法となる可能性をもっている。このため、滲出型、委縮型両方において、同治療法は有効と考えられている。置き換える RPE 細胞は直径約 2mm の黄斑部だけで良く、また細胞の層は 1 層しかないため、比較的容易に再生化が可能と考えられる。他家の iPS 細胞を用いるのは、大量生産による製造コストの引き下げが可能となることや、患者への治療期間も短くて済むといったメリットが期待できるためである。

なお、iPS 細胞から RPE 細胞を作製するまでの期間はおよそ 3 ～ 4 ヶ月程度で、1 つのシャーレーで数十人分の RPE 細胞が作製できる見通しとなっている。また、作製した RPE 細胞に関しては冷凍保存するため、理論的には半永久的に利用が可能となっている。

国内では滲出型を適応領域とした開発を進めており、現在は動物モデルによる実験を行っている段階にある。今後順調に進めば、2017 年後半以降に臨床試験に入り 3 年程度かけて、条件付き早期承認制度での承認申請を行いたい考えだ。国内の潜在的な患者数は前述したように滲出型罹患者数で 63 万人となり、うち 1 年以内に再発する罹患者（約 92%）を対象とすると、約 58 万人が対象となる。高齢化社会の進展により、上市する頃には対象患者数もさらに増加していることが予想される。薬価については製造コストとの兼ね合いもあるので流動的ではあるものの、2015 年に製造販売承認された 2 件（テムセル ®HS 注、ハートシート）の再生医療製品はそれぞれ 1,400 万円前後の薬価が付いている。まだ製造コストが高いことが高薬価となった要因とみられる。RPE 細胞の製造コストが今後どの程度下がるかにもよるが、上市されれば潜在的な市場規模は膨大となることが予想される。

再生医療等製品と薬価

製品名	テムセル ®HS 注	ハートシート
会社名	JCR ファーマ（株）	テルモ（株）
適応症	造血幹細胞移植後の急性 GVHD	虚血性心疾患による重症心不全
臨床試験症例数	27 例	7 例
薬価	1 クール（8 回）約 1,390 万円	1 治療当たり 1,476 万円
備考	国内初の他家由来の間葉系幹細胞を用いた再生医療等製品の本承認	早期承認精度導入後初の条件付き期限付き承認

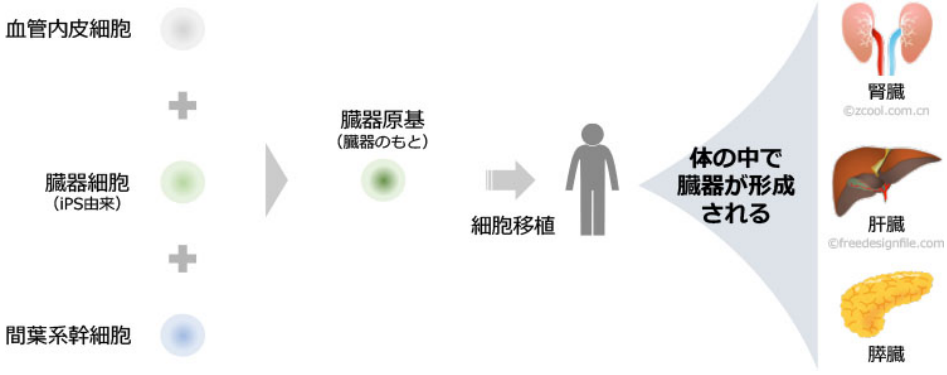
注：GVHD（移植片対宿主病）：造血幹細胞移植後に、移植された造血幹細胞に含まれる免疫細胞が、患者の身体を異物とみなして攻撃する疾患。
出所：決算説明会資料等を参考にフィスコ作成

一方、海外市場での展開については、欧米市場で委縮型を適応領域として開発を進めていく予定となっている。細胞の製造委託先は Lonza に決定しており、2016 年中に治験用の親株細胞を決定し、マスターセルバンクの作製に入ると同時に、開発販売パートナーとの契約締結を目指していく。順調に進めば国内よりもやや遅れたタイミングで臨床試験に入る見通しだが、第 3 相試験では欧州も含めたグローバル治験を行う予定にしており、最終的には臨床試験から申請まで 10 年超の期間を要するとみられ、上市のタイミングは 2020 年代の後半頃となりそうだ。

○代謝性肝疾患治療薬（尿素サイクル異常症など）

iPS 細胞を用いた再生医療の領域において、将来的な成長が最も期待されているのが 3 次元臓器の開発である。2013 年に横浜市立大学の研究チームによって、iPS 細胞から血管構造を持つ機能的なヒト臓器の創出に世界で初めて成功したことが発表されて以降、にわかに注目が集まっている。同研究によれば、iPS 細胞から作製した前駆細胞（臓器細胞に分化する前の細胞）と間葉系幹細胞（細胞同士をつなぐ働きを持つ細胞）、血管内皮細胞（血管を作り出す細胞）を特定の配合比率によって培養することで、血管構造を持つ立体的な臓器原基を形成することが可能となり、その原基をマウスに移植したところ血管を持つヒトの肝臓に成長したことが確認されている。

3 次元臓器の作製メカニズム



出所：会社 HP

同大学ではこの作製メカニズムを用いて、2019 年より臨床研究を開始する予定となっている。適応領域は新生児の代謝性肝疾患のうち「尿素サイクル異常症など」※となる。新生児の代謝性肝疾患の市場規模は世界でも 120 ～ 210 億円程度と推計され、大きな市場とは言えないが、同領域で良好な結果が得られれば、将来的には肝臓移植の代替治療となる可能性があるだけに注目度は大きい。また、肝硬変について見れば罹患者数が国内で推定 40 ～ 50 万人、うち医療機関に受診している患者数が約 5.6 万人、年間死亡者数が約 1.7 万人となっている。肝臓の再生医療が実現すれば肝硬変の治療にも展開できる可能性がある。

※ 肝臓においてアンモニアを解毒し尿素を産生する代謝経路（尿素サイクル）で働く酵素に、先天的な異常があることで発症する疾患で、現在の根治療法は肝臓移植のみ。

なお、3 次元臓器の実用化に向けて、同社では横浜市立大学とヒト臓器原基作成に関する独占的な特許実施権許諾契約を締結しており、同大学との共同研究を進めている（5 名の研究員を同大学に常駐）。実用化に向けた今後の課題としては、細胞大量培養技術の確立と細胞の製造や開発販売を行うパートナーづくりとなる。このうち、細胞大量培養技術に関しては、アサーシスが持つ間葉系幹細胞等の 3 次元大量培養技術のノウハウを活用することで向上する可能性がある。肝臓の再生医療が実現すれば、そのほかの臓器の再生医療に関しても可能性が広がることになり、医薬品開発において大きなパラダイムシフトが起きることとなりそうだ。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

新生児の代謝性肝疾患の推定市場規模

	米国	日本	欧州	合計
患者数（年間）	約 160 人	約 30 人	約 230 人	約 420 人
治療費（年間）	3,000 ～ 5,000 万円			
年間推定市場規模	50 ～ 80 億円	10 ～ 15 億円	60 ～ 115 億円	120 ～ 210 億円

出所：決算説明会資料

肝臓移植患者数

	米国	日本	欧州	合計
実施患者数（年間）	約 6,000 人	約 400 人	約 4,000 人	約 1 万人
待機患者数（年間）	約 15,000 人	約 400 人	約 4,000 人	約 2 万人

出所：決算説明会資料

アサーシスの幹細胞製品 MultiStem を使った脳梗塞治療薬の国内での上市を目指す

(2) 体性幹細胞再生医薬品

体性幹細胞再生医薬品としては、アサーシスの幹細胞製品 MultiStem を使った脳梗塞治療薬の国内での上市に向けた開発を進めていく。2016 年中に臨床試験に入り、3 年程度をかけて条件付き早期承認制度による承認申請を行いたい考えだ。順調に進めば 2020 年頃に上市できる可能性があり、同社の開発パイプラインでは最も早期に収益化が期待できる製品となる。

アサーシスの開発した製品は急性期脳梗塞の治療に用いられるもので、MultiStem を静脈注射で投与することで、脳梗塞発症部における炎症や免疫反応を抑えて神経細胞の二次損傷を抑制する効果があるほか、種々のサイトカインや増殖因子を放出することで神経保護作用を促進する効果が期待できる。また、同治療薬では免疫抑制剤が不要なほか、冷凍保存による長期保管が可能、1 回の投与により治療効果が得られるといった特長を持つ。

2016 年 2 月にアサーシスが米国で発表した国際第 2 相臨床試験の長期（1 年）成績によれば、発症後 48 時間以内に投与された患者群とプラセボ群の中で、優れた回復症状の条件※に該当する患者の比率を調べた結果、MultiStem 投与群で 23.1%、プラセボ投与群で 8.2%となり群間差は 14.9%と、90 日間のデータ結果である群間差 8.8%を大きく上回る結果となり、長期経過で見ても MultiStem の有効性が認められる結果が示された。なかでも 36 時間以内の投与患者に限ってみれば、群間差は 20.8%とさらに拡大する結果となっている。統計学的有意性を示す指標である p 値についても 5%以下という基準値に対して、48 時間以内の患者群で 2%、36 時間以内の患者群では 1%以下となり、統計学的有意性においても十分な結果が示されている。

※ 優れた回復症状を示す指標として 3 つの代表的指標を用いている（mRS1 以下、NIHSS1 以下、BI95 以上）。mRS は概括障害度、NIHSS は神経症状障害度、BI は日常生活動作指標を指し、これら 3 つの指標で一定基準以上を示した患者を優れた回復症状を示した患者としてカウントしている。

優れた回復症状を見せた患者数の割合

患者群	90日間	365日間	統計学的有意差（p値）
脳梗塞発症後48時間以内のMultiStem投与群（n=65）	15.4%	23.1%	
脳梗塞発症後48時間以内のプラセボ投与群（n=61）	6.5%	8.2%	
群間差	8.8%	14.9%	p=0.02
脳梗塞発症後36時間以内のMultiStem投与群（n=31）	16.1%	29.0%	
群間差	9.5%	20.8%	p<0.01

出所：会社発表資料

アサーシスでは今回の結果発表を持って、今後はより有意性が明確となっている 36 時間以内を基準とした治療薬の臨床開発を続けていく方針を示しており、同社においても同様の条件によって臨床試験の申請準備を進めていく予定となっている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

現在、急性期の脳梗塞治療法としては血栓溶解療法やステント等を用いた機械的血栓回収療法があるが、血栓溶解療法は発症後 4.5 時間以内、機械的血栓回収療法は同 8 時間以内の治療法であり、時間的な制限が短いほか脳内出血のリスクもある。医療現場では「治療できる時間がより長い新薬の開発」が待ち望まれており、同治療薬が上市されれば脳梗塞の治療法に大きな変革をもたらすものとして期待されている。

脳梗塞の発症患者数は国内で年間 23 ～ 33 万人で、このうち重度の患者数は 13 万人、このうち 36 時間以内に医療機関に搬送される患者数は 6.2 万人と同社では推計している。薬価を仮に 300 万円程度として試算すれば、潜在市場規模は 2,000 億円弱程度になると弊社ではみている。脳梗塞に対する年間医療費は回復までの治療費も含めて年間 1 兆円を超えており医療財政の負担にもなっていることから、社会的意義といった面でも期待は大きいと言えよう。

なお、MultiStem のライセンス契約に当たって、同社はアサーシスに対して契約一時金 15 百万ドル（120 円 / ドル換算で 18 億円）、開発段階に応じてマイルストーンとして最大 30 百万ドル（同 36 億円）を支払い、上市後は販売額に応じて 10 数 % のロイヤルティを支払う契約となっている。このため、上市までは費用が先行することになるが、上市されれば市場規模が大きいだけに収益化は十分可能とみられる。

また、MultiStem に関しては神経、心血管、炎症、免疫系の疾患領域を適応症として現在、6 つの臨床試験をアサーシスで実施している。このうち、同社は急性呼吸促迫症候群（ARDS）※と他 1 件について、開発販売のオプション権を取得している。ARDS に関しては動物実験での良好な結果が得られているという。

※ ARDS…呼吸不全（肺機能不全）の一種で、肺の液体貯留が生じ、血液中の酸素濃度が異常に低下する救急治療を要する疾患。重度の場合、人工呼吸器が必要となる場合もある。

眼科手術補助剤の「BBG」は上市済み

(3) 化合物医薬品

現在、同社のパイプラインの中で上市されている唯一の製品が眼科手術補助剤の「BBG」となる。海外では DORC に開発販売ライセンスを供与しており、同社は DORC による同製品の売上の一定割合をロイヤリティ収入として受け取っている。現在は欧州市場で販売されているほか、米国での臨床試験が進んでいる。また、2016 年 2 月にはブラジルでの販売承認も取得しており、現在 74 の国と地域で承認を得ている。一方、国内ではわかもと製薬にライセンス供与し、硝子体手術を適応領域として臨床試験が進んでいるほか、白内障手術向けでのライセンス契約締結に向けた取り組みを進めている。

製品売上高としては 2015 年 12 月期で数千万円レベルであり、現在開発を進めているすべての適応症、市場で上市されたとしても売上規模は数億円レベルにとどまる見込みである。

■業績動向

マイルストーン収入の減少や研究開発費の増加で営業損失は拡大

(1) 2015 年 12 月期業績

2015 年 12 月期の業績は、売上高で前期比 64.9% 減の 98 百万円、営業損失で 1,060 百万円（前期は 568 百万円の損失）となった。売上高については、前期に RPE 細胞製品にかかるマイルストーン収入 200 百万円（大日本住友製薬との共同開発契約による）を計上した反動で減収となっている。98 百万円のうち大半は欧州での BBG の販売にかかるロイヤルティ収入となっており、一部再生医療事業の取り組みに関するコンサルティング収入が計上されている。

営業損失が拡大した要因は、マイルストーン収入の減少に加えて研究開発費が増加した影響による。研究開発費は開発体制の強化を進めたことにより前期比 302 百万円増加の 629 百万円となった。期末従業員数は前期比 7 名増の 44 名となった。人員に関しては今後も年間 5 ～ 10 名程度のペースで増員していく方針となっている。

2015 年 12 月期業績

（単位：百万円）

	14/12 期	15/12 期	
	実績	実績	増減額
売上高	279	98	−181
売上総利益	230	88	−142
研究開発費	327	629	+302
販管費	472	520	+48
営業利益	−568	−1,060	−492
経常利益	−470	−987	−516
当期純利益	−477	−958	−480
期末従業員数	37 名	44 名	+7 名

(2) 2016 年 12 月期の業績予想について

2016 年 12 月期の会社側業績予想は開示していない。ライセンス契約の動向や臨床試験の開始スケジュールなど現段階では計画を立てるうえでの流動的な要素が多く、予想が難しいためだ。ただ、アサーシスとの契約に伴う契約一時金約 18 億円、及び脳梗塞治療薬の臨床試験にかかる開発費用約 3 億円を見込んでいるほか、その他の研究開発費用で 6 ～ 7 億円、販管費で 5 ～ 6 億円が想定されることから、事業費用は少なく見積もっても 33 億円程度が予想される。また、iPS 細胞再生医薬品分野において事業を加速させることが可能な新規シーズを獲得する機会があれば、契約一時金の支払いが発生する可能性もある。一方で、売上高としては BBG の販売ロイヤリティ収入の伸びにより 1 億円程度が見込めるほか、海外での iPS 細胞再生医薬品分野で事業提携が決まれば、契約一時金が発生することになる。

中期的には開発パイプラインの開発費用が先行するため、損益的には赤字が続くものとみられ、収益が本格的に拡大局面に入るのは現在の開発パイプラインの上市が見込まれる 2020 年以降のこととなりそうだ。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

(3) 財務状況

2015 年 12 月末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 7,315 百万円増加の 10,487 百万円となった。株式の上場により 7,658 百万円の資金を調達できたことで、現預金が 7,248 百万円増加した。また、投資その他が 150 百万円増加したが、これは関連会社のサイレジェンへの追加投資による関係会社株式の増加によるものとなっている。また、無形固定資産は、アキュメンから譲り受けた BBG の営業権に関するのれんの減少（のれん償却額は年間 100 百万円）を主因として、98 百万円減少した。

一方、負債合計は前期末比 603 百万円増加の 1,110 百万円となった。前受金が 387 百万円、未払金が 175 百万円それぞれ増加したことが主因だ。純資産は前期末比 6,712 百万円増加の 9,377 百万円となった。新株発行により資本金、資本準備金が各 3,846 百万円増加した一方で、当期純損失 958 百万円の計上により利益剰余金が減少した。

なお、同社は手元資金の厚みを増すことを主目的に 2016 年 1 月に取引銀行 4 行から総額 20 億円の借入れ（返済期間 3 年間、金利 1.0 ～ 1.8%）を実施している。同資金により脳梗塞治療薬の開発資金を賄っていく予定となっている。なお、加齢黄斑変性治療薬の今後の開発資金に関しては、直接開発費で 52 億円程度を見積もっているが、同資金は大日本住友製薬が拠出する契約となっており、業績面での影響は出ない格好となっている。

貸借対照表

（単位：百万円）

	13/12 期	14/12 期	15/12 期	増減額
流動資産	3,025	2,064	9,325	7,261
（現預金）	3,006	1,946	9,195	7,248
有形固定資産	19	120	123	2
無形固定資産	991	899	800	−98
投資等	7	87	237	150
総資産	4,044	3,171	10,487	7,315
負債合計	981	507	1,110	603
（有利子負債）	−	−	−	−
純資産合計	3,062	2,664	9,377	6,712
（安全性）				
流動比率	1597.6%	433.7%	863.0%	
自己資本比率	75.7%	83.1%	89.3%	
有利子負債比率	−	−	−	

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。

FISCO

ディスクレーマー（免責条項）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。“JASDAQ INDEX”の指数値及び商標は、株式会社東京証券取引所の知的財産であり一切の権利は同社に帰属します。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したものですが、その内容及び情報の正確性、完全性、適時性や、本レポートに記載された企業の発行する有価証券の価値を保証または承認するものではありません。本レポートは目的のいかんを問わず、投資者の判断と責任において使用されるようお願い致します。本レポートを使用した結果について、フィスコはいかなる責任を負うものではありません。また、本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行動を勧誘するものではありません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業との電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けていますが、本レポートに含まれる仮説や結論その他全ての内容はフィスコの分析によるものです。本レポートに記載された内容は、資料作成時点におけるものであり、予告なく変更する場合があります。

本文およびデータ等の著作権を含む知的所有権はフィスコに帰属し、事前にフィスコへの書面による承諾を得ることなく本資料およびその複製物に修正・加工することは堅く禁じられています。また、本資料およびその複製物を送信、複製および配布・譲渡することは堅く禁じられています。

投資対象および銘柄の選択、売買価格などの投資にかかる最終決定は、お客様ご自身の判断でなさるようにお願いします。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

株式会社フィスコ