

2026 年 10 月 22 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)

ヘリオス eNK®細胞のマウスでの生体内分布を評価するための Direct qPCR の 確立に関する論文が”Regenerative Therapy” に掲載

当社及び開発パートナーである株式会社 Akatsuki Therapeutics は、eNK 細胞®*を用いた新たな治療法の研究を進めております。このたび、eNK®細胞のマウス生体内分布試験における定量評価のための、効果的な Direct qPCR 法の確立に関する当社研究員による学術論文が、査読付きジャーナル、[“Regenerative Therapy”](#) に掲載されましたのでお知らせいたします。

タイトル：[Development of an effective direct qPCR method for cell therapy product quantification in non-clinical biodistribution studies](#)

掲載誌：[“Regenerative Therapy”](#)

Manuscript Number: 33 (2026) 101189

執筆者：Yoichi Naritomi, Yuka Sato, Kumiko Goto, Yuriko Takeno, Hironobu Kimura, Kouichi Tamura

Affiliation: Kobe Research Institute, HEALIOS K.K., Kobe, Japan

概要：

細胞治療製品（CTPs）の非臨床における生体内分布（BD）を評価することは、臨床試験におけるその有効性と安全性を予測するために不可欠である。通常、BD は DNA 抽出後の qPCR によって定量化されるが、このプロセスは手間と時間がかかり、DNA 抽出率にばらつきが生じやすいため、臓器重量や血液量に基づいた正規化を困難にしている。これに対し、Direct qPCR では、DNA 抽出を行わずに溶解したサンプルをそのまま定量することが可能である。本研究では、CTPs の BD 研究に適用可能で効果的な Direct qPCR 法を体系的に確立した。

我々は、ヒト人工多能性幹細胞（iPSC）由来の遺伝子改変 NK 細胞である HLCN061 を用いた。HLCN061 細胞を含むマウスの臓器および血液を溶解・希釈し、ヒト特異的な Alu プライマーセットを用いて real-time PCR を行った。PCR 反応には、阻害物質の影響を受けにくいマスターミックスを用いた。アッセイの性能は、直線性（ R^2 ）、増幅効率、相対誤差（RE）、変動係数（CV）、および定量下限（LLOQ）によって評価した。さらに、この確立された方法を用いて、マウスへの静脈内投与後 24 時間にわたる HLCN061 細胞の BD を評価した。

すべての組織および血液サンプルにおいて、 R^2 は 0.99 を超え、PCR 増幅効率は 90% から 110% の範囲にあり、RE 値は $\pm 25\%$ の範囲内に収まった。CV 値は、1 例を除き 25% 以内に収まった。LLOQ は、肝臓、肺、腎臓、心臓では 0.25 細胞/mg 組織重量、脾臓および卵巣では 1 細胞/mg 組織重量、血液では 0.3 細胞/ μL であった。組織重量で正規化した濃

度は肺で最も高く、血液からのクリアランスが最も速かった。

この Direct qPCR 法は、CTPs の非臨床 BD 評価において有効かつ適していると結論づけた。

以 上

* eNK®細胞

開発コード：AKT-01/HLCN061 (engineered NK cells)

遺伝子導入技術により細胞傷害活性の増強だけでなく、患者免疫細胞のリクルート（呼び込み）や固形がんへの浸潤特性も強化された、当社が開発した独自の遺伝子導入 iPSC（人工多能性幹細胞）由来 NK 細胞プラットフォームです。当社および開発パートナーである株式会社 Akatsuki Therapeutics では、自社研究の成果として、eNK®細胞の作製に成功するとともに、eNK®細胞がヒト肺がん細胞生着マウスモデル、ヒト肝がん細胞生着マウスモデル、ヒト中皮腫細胞生着マウスモデル、さらに肺がん患者由来のがんオルガノイド（F-PDO®: Fukushima Patient-Derived Tumor Organoid）に対して抗腫瘍効果を有することを確認しています。

また、[国立研究開発法人国立がん研究センターとの共同研究](#)において、国立がん研究センターが保有する複数のがん種に由来する PDX（Patient-Derived Xenograft：患者腫瘍組織移植片）移植マウスを用いてヒト肺がん組織に対する eNK®細胞の抗腫瘍効果を確認しています。また、[兵庫医科大学](#)と eNK®細胞を用いた中皮腫に対するがん免疫細胞療法に関する共同研究を、[国立大学法人広島大学大学院](#)と eNK®細胞を用いた肝細胞がんに対するがん免疫細胞療法に関する共同研究を進めています。さらに、[国立大学法人九州大学](#)と、CAR-eNK®細胞を用いた脳腫瘍に対するがん免疫細胞療法に関する共同研究を進めています。

自社研究においては、eNK®細胞が、中皮腫皮下移植モデルマウス、肺がん同所生着モデルマウス、肝がん皮下移植モデルマウス、および胃がん腹膜播種モデルマウスに対して抗腫瘍効果を有することを確認しています。また、生体内のがんと同様の環境を有する肺がん患者由来のがんオルガノイドにおいても、同様に抗腫瘍効果を有することを確認しています。現在、eNK®細胞を用いた治験の開始を目指し、PMDA や米国 FDA と相談を進めています。

■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 を使用した急性呼吸窮迫症候群（ARDS）や脳梗塞急性期及び外傷由来急性腎不全（AKI）の治験を実施しています。HLCM051 は、強力な抗炎症作用と免疫調節作用を示しており、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、ARDS、脳梗塞急性期、外傷由来急性腎不全（AKI）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 iPSC 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、遺伝子導入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) AKT-01/HLCN061 の開発を、当社の開発パートナーである株式会社 Akatsuki Therapeutics の主導で、治験開始に向けて進めています。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>

■株式会社 Akatsuki Therapeutics について

株式会社 Akatsuki Therapeutics (本社：大阪府大阪市北区角田町 8 番 1 号、代表取締役：山崎順也、以下「Akatsuki 社」と言います。) は、がんその他の重篤な疾患を対象とする次世代の細胞免疫療法を開発するバイオテクノロジー企業です。Akatsuki 社は、ヘリオスとの連携のもと、固形がんを対象とする iPSC 由来・遺伝子改変 eNK®細胞治療 AKT-01/HLCN061 の開発を主導しており、胸膜中皮腫を最初の対象疾患として治験開始に向けた準備を進めています。Akatsuki 社は、量産可能な off-the-shelf 型細胞治療を世界の患者さんに届けることを目指しています。

本件に関するお問い合わせ先
IR 広報部 ir@healios.jp