



AnGes

アンジェス株式会社
2023年12月期 第2四半期決算説明

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2023年8月

- ◆ 本資料には当社の現在の見通し、予想、目標、計画等を含む将来に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとに当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来予想に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績その他の結果は、将来予想に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。従って、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更又は訂正する一切の義務を当社は負いません。
- ◆ 上記のリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの取得承認、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。

1 第2四半期決算サマリー 及び 業績予想の修正

2 2023年12月期 第2四半期 主要トピックス

- ① HGH遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請
- ② ゾキンヴィ 国内製造販売承認申請
- ③ NF-κBデコイオリゴDNA
- ④ 資金調達

3 アンジェスクリニカルリサーチラボラトリーの実績

01

第2四半期決算 及び 業績予想の修正

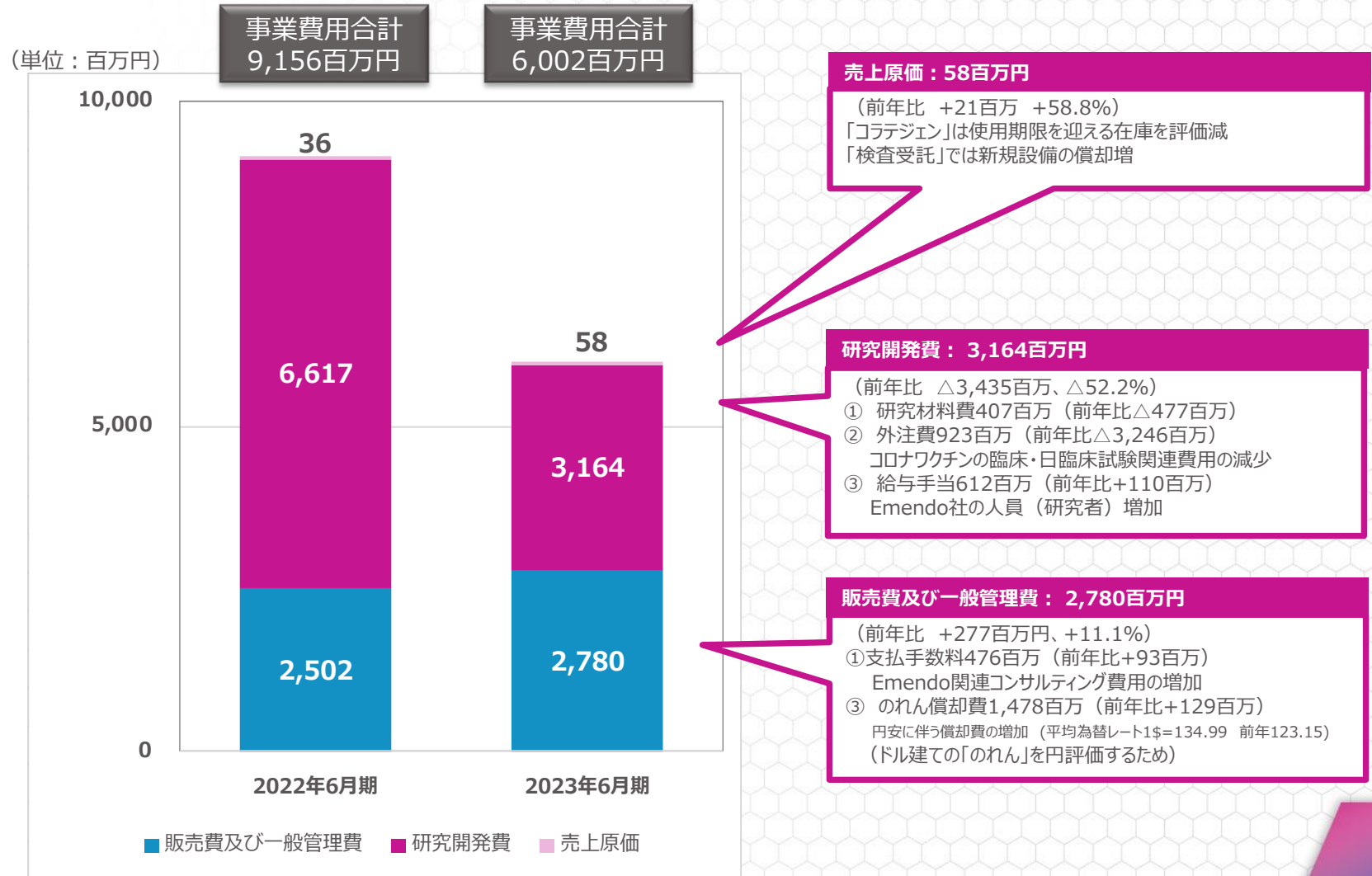
第2四半期連結累計期間の業績及び通期業績見通し

(単位：百万円)

	2022年6月	2023年6月	増減	2023年12月 期初見通し	2023年12月 修正見通し	増減
事業収益	31	51	19	190	190	0
事業費用	9,156	6,002	-3,153			
営業損益	-9,124	-5,951	3,173	-15,500	-13,500	2,000
営業外収支	1,704	1,174	-529			
経常損益	-7,420	-4,776	2,643	-9,900	-7,500	2,400
特別損益	0	-1	-1			
当期純損益	-7,425	-4,830	2,595	-10,000	-7,500	2,500

- ・当上期業績は、新型コロナウイルス向けワクチン開発の中止となったことから研究開発費が減少、その他経費を圧縮
- ・通期業績見通しは外部に委託していた業務の一部内製化等により事業費用を見直し、業務の効率化を推進

事業費用の内容



連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2022年12月末	2023年6月末	増減
流動資産	12,896	9,844	-3,051
うち現金及び預金	11,035	7,766	-3,268
固定資産	25,924	26,945	1,021
うち「のれん」	23,254	23,820	565
総資産	38,820	36,790	-2,030
負債	8,395	8,903	508
純資産	30,425	27,887	-2,538

流動資産

- 現預金 7,766百万 (前年度末比△3,269百万円)
資金調達1,060百万はあるも、事業支出に伴い前年比減少
- 原材料及び貯蔵品1,439百万(前年比+434百万)
コラジェン原薬製造に伴い増加

固定資産

- のれん残高 23,820百万 (前年比+565百万)
10年償却による減価償却△1,478百万はあるも、為替円安に伴う評価替2,044百万により残高増加 (純資産の部 為替換算調整にて処理)
- Emendo社社屋に対す米国リース会計基準の適用
使用権資産 1,419百万 (前年比+101百万)

負債

- 前受金 6,401百万 (前年比+637百万)
提携先から研究開発費の協力金受領
- リース会計 (Emendo社米国会計基準) の適用
リース債務 1,145百万 (前年比△9)

純資産

- 資金調達に伴い資本金/資本剰余金+539百万
- 当期損失による利益剰余金のマイナス △4,830百万
- 円安に伴うのれんの評価替に伴う増加
為替換算調整 6,018百万(前年比+1,177百万)

02

2023年12月期 第2四半期 主要トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

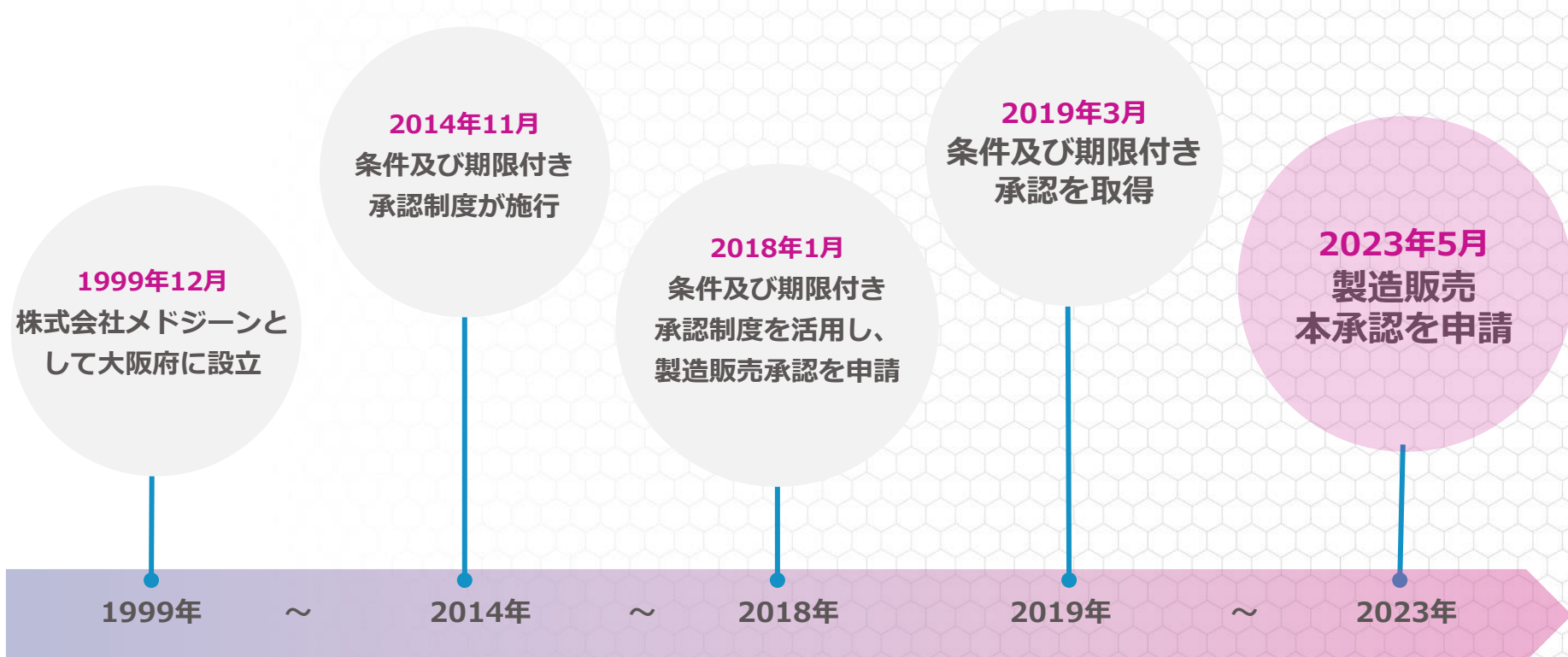
Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

HGF遺伝子治療用製品「コラテジェン」開発の歩み

2023年5月31日に「コラテジェン」の製造販売承認を申請



2014年11月に制度が導入され、2019年3月に条件及び期限付き承認を取得
今回「コラテジェン」の条件解除に向けた**本承認の申請は**、制度が出来てから**初**

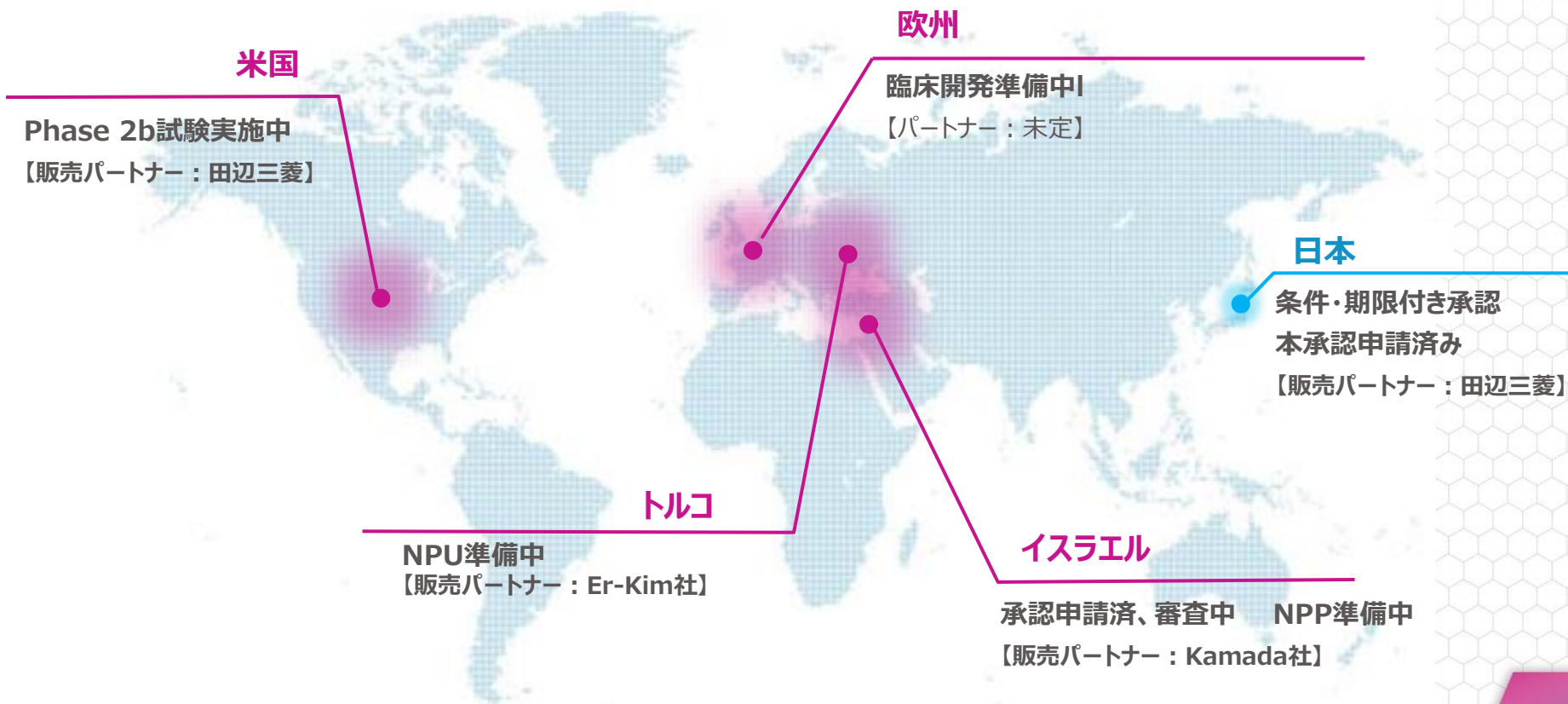
HGF遺伝子治療用製品のグローバル展開

米国

後期第Ⅱ相臨床試験の目標症例数の登録が完了、経過観察中

イスラエル

Kamada社がイスラエル保健省に製造販売承認申請し、審査中



2023年度 第2四半期 トピックス



1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

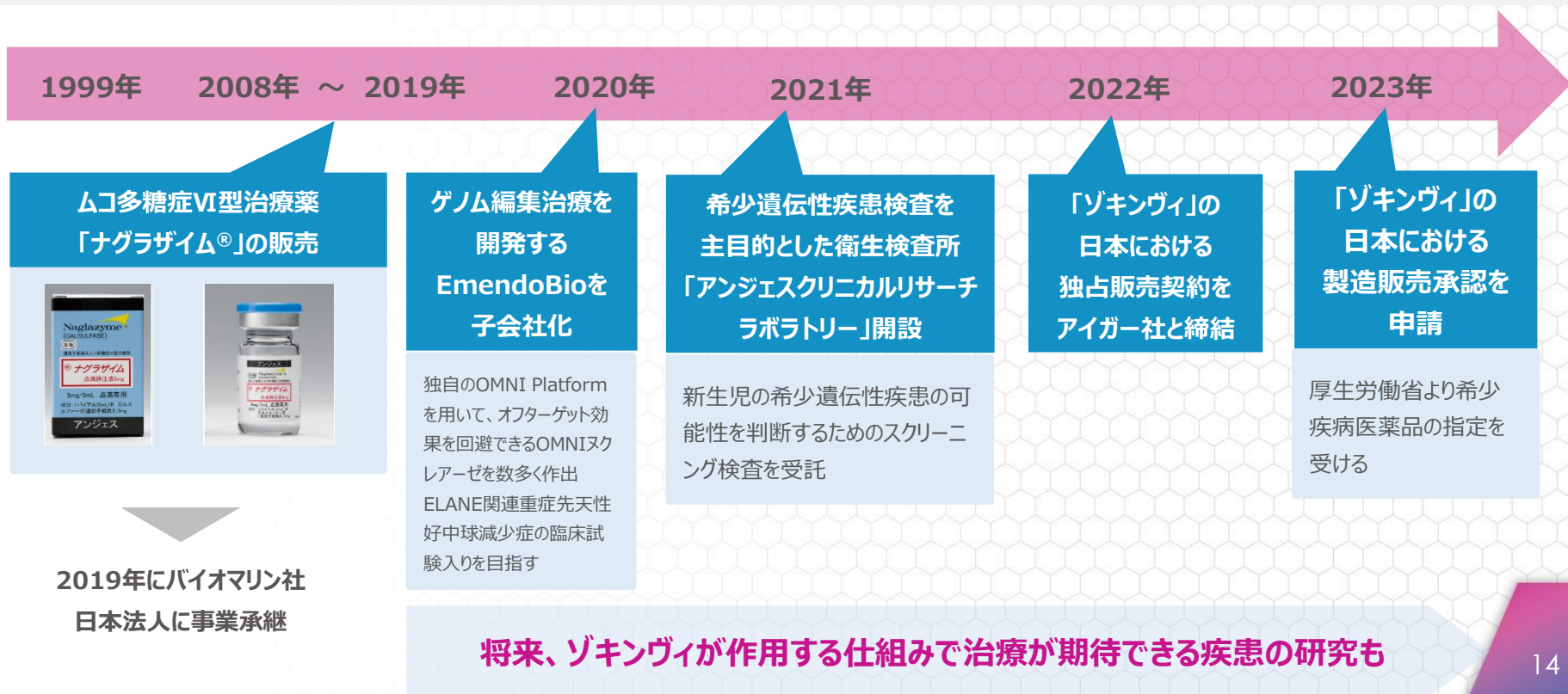
希少疾患への取り組みとゾキンヴィ

2023年5月12日に早老症治療剤「ゾキンヴィ」の製造販売承認申請

当社の事業目的として、

治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などを対象にした革新的な医薬品の開発を通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、

そのためにも国際的に通用する革新的な医薬品を少しでも早く患者様にお届けすることを目指している。



2023年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

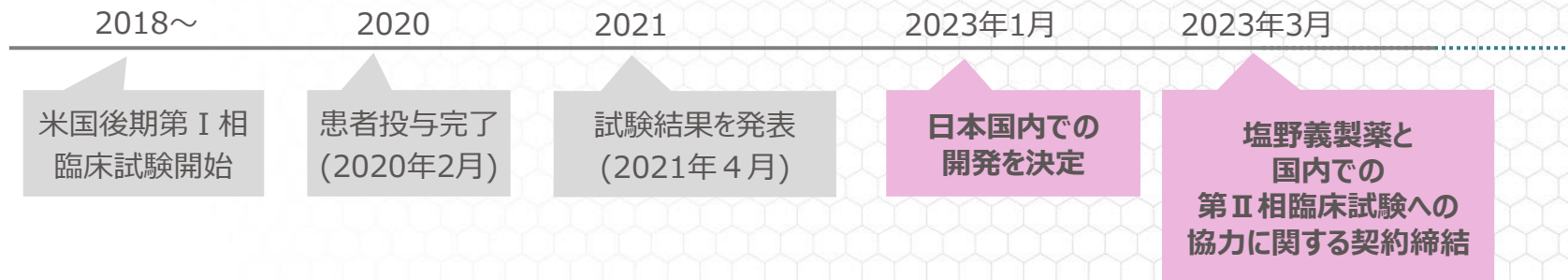
4

Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

事業性を見込んで、日本国内での第Ⅱ相臨床試験の準備中 塩野義製薬と協力に関する契約締結



対象疾患	椎間板性腰痛症
患者数	167万人（日本）（出典：IQVIA調査資料）
開発状況	<p>米国で後期第Ⅰ相臨床試験の試験結果を公表（安全性・有効性を確認）。</p> <p>日本国内での第Ⅱ相臨床試験を決定（2023年1月）</p> <p>塩野義製薬と国内第Ⅱ相臨床試験への協力に関する契約締結（2023年3月）</p>

2023年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

“バイオ医薬品研究におけるノーベル賞”に相当する

2023 プリ・ガリアン (Prix Galien) USA アワードの ベスト・スタートアップにノミネートされました

NEW

プリ・ガリアン・USA・アワード (Prix Galien USA Award)

画期的な医薬品を開発した者に贈られる賞で、11カ国以上の国や地域で選定が行われているため、授与する国名を冠して贈られます。(薬のノーベル賞といわれます)

フランスの薬学者、ローランド・メールが製薬分野の研究開発を促す目的で1969年に創設、古代の医学者ガレノスに由来して命名された。1970年より臨床医・薬学者・薬剤師・製薬会社などを対象に授与を始めました。

当時製薬の分野では、他に有力な表彰制度が無かったため、多くの研究機関や製薬会社などに支持されました。1980年代以降は、各国で学識経験者らが選考し、授与を行うようになりフランス、ドイツ、ベルギー、オランダ、ルクセンブルク、イギリス、スペイン、ポルトガル、イギリス、アメリカなどが自国や地域の名を冠した賞を制定するに至っています。



Emendo社独自のOMNIヌクレアーゼを使用した
家族性高コレステロール血症（FH）を対象疾患とした研究開発で
2025年以内に臨床入りを目指します 

【対象疾患】

■ 家族性高コレステロール血症(Familial Hypercholesterolemia)

生まれつき血液中の悪玉コレステロールである、LDL(Low density lipoprotein)コレステロールが異常に増えてしまう病気。

若年期から動脈硬化が進行し、血管が狭くなったり、詰まったりしてしまう。

動脈硬化は特に冠動脈に起こりやすく、**放置すると若いうちに心筋梗塞や狭心症を発病してしまう**ことがある。

父母由来の両方の遺伝子に異常がある場合をホモ接合体といい、いずれか一方のみに異常が認められる場合をヘテロ接合体という。

ヘテロ接合体は300人当たり1人、と推定される。

また、ホモ接合体の頻度は30万人に1人程度だが、重症化するので、難病に指定されている。

2023年度 第2四半期 トピックス



1

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認申請

3

NF- κ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Emendo社のゲノム編集

5

第43回新株予約権の発行による資金調達

第43回新株予約権の資金使途は既存開発パイプラインの上市・商業化

23年7月

25年6月

25年12月

慢性動脈閉塞症のHGF遺伝子治療薬「コラテジエン®」の正式承認に向けた製造販売費用及びグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用

- 国内：2023年5月31日に条件付き承認の条件解除に向けた本承認申請
- 米国：閉塞性動脈硬化症を対象とした後期第Ⅱ相臨床試験を実施しており、2022年末までに目標症例数の投与を完了。米国は対象患者が多く、大きな市場となる可能性
- イスラエル：導出に関する基本合意書を締結したKamada社が、2022年にイスラエル保健省に製造販売承認申請

32億円



早老症治療剤「ゾキンヴィ」の正式承認に向けた製造販売費用

2023年5月12日に国内製造販売承認申請
 当社衛生検査所（ACRL）で、対象疾患であるHGPS⁽¹⁾及びPL⁽²⁾についての確定診断のための遺伝子検査を実施できる体制を構築中

注：(1) HGPS: ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群、(2) PL: プロジェロイド・ラミパチー

15億円



慢性椎間板性腰痛症治療用NF-kBデコイオリゴDNAの国内における第Ⅱ相臨床試験費用

- 米国：後期第Ⅰ相臨床試験では、重篤な有害事象は認められず、高い安全性が確認。有効性についても投与早期より腰痛は大幅に軽減し、腰痛の抑制は投与12ヵ月後まで継続
- 国内：第Ⅱ相臨床試験。塩野義製薬株式会社より臨床試験費用の一部を負担いただく予定

7億円 + 塩野義負担額



03

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(ACRL)の取り組み

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

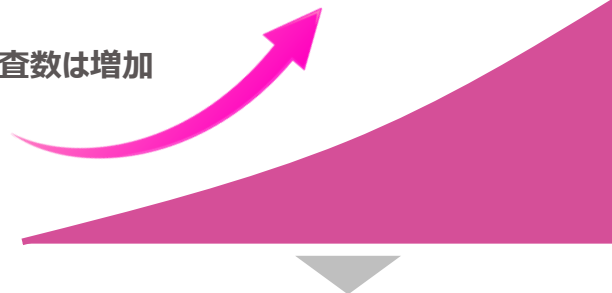
「一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会 (CReARID)」が提供する
有償検査 (オプションスクリーニング) の検査業務を受託



©三輪晃久写真研究所

検査数は増加

年間で約 1 万件 !



今後は検査できる疾患をさらに拡大し、取引先を広げていく予定

新生児を対象とした検査

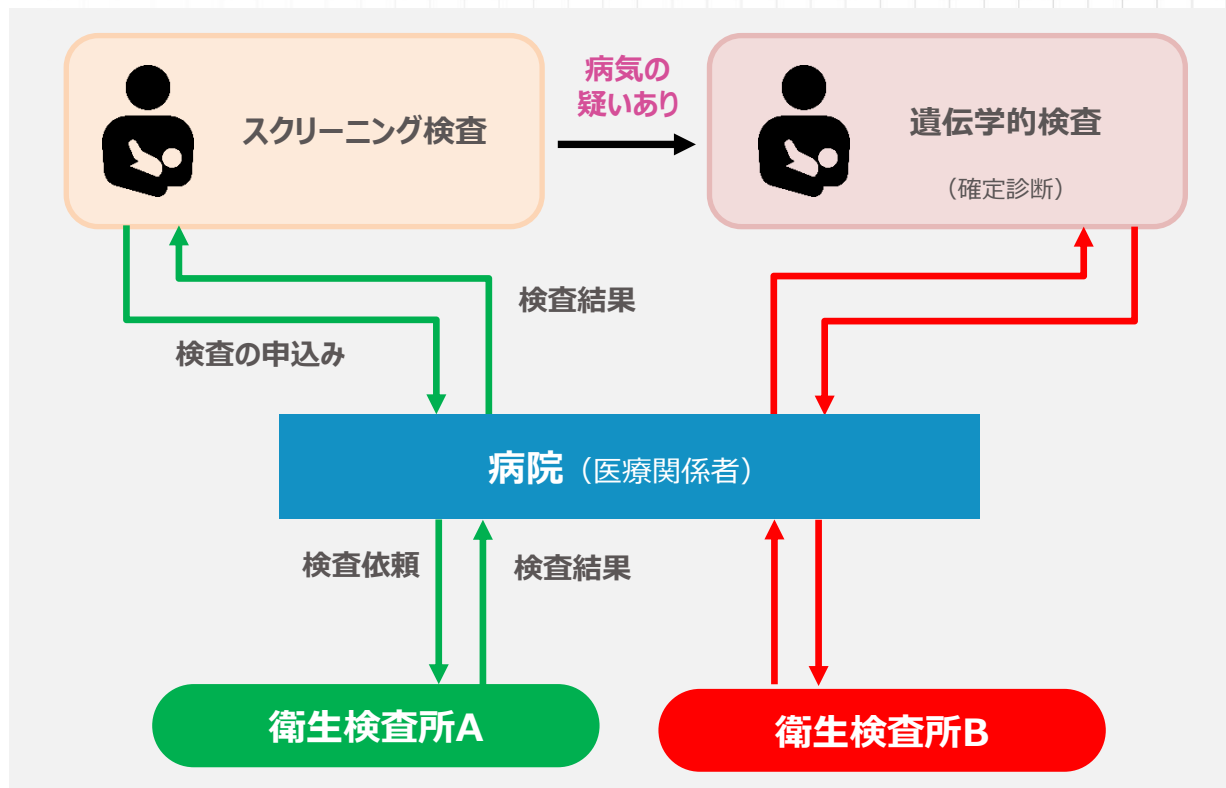
新生児マス・スクリーニング (公的マス)

- ・日本出生の全新生児に無償で実施
- ・先天性代謝異常症 (フェニルケトン尿症など) や
内分泌疾患 (先天性甲状腺機能低下症など)

拡大新生児スクリーニング

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患
(ポンペ病、ムコ多糖症等)

拡大新生児スクリーニングの対象疾患をはじめとした
希少遺伝性疾患において、スクリーニング検査と遺伝学的検査を
一括して委託できる検査会社が無い



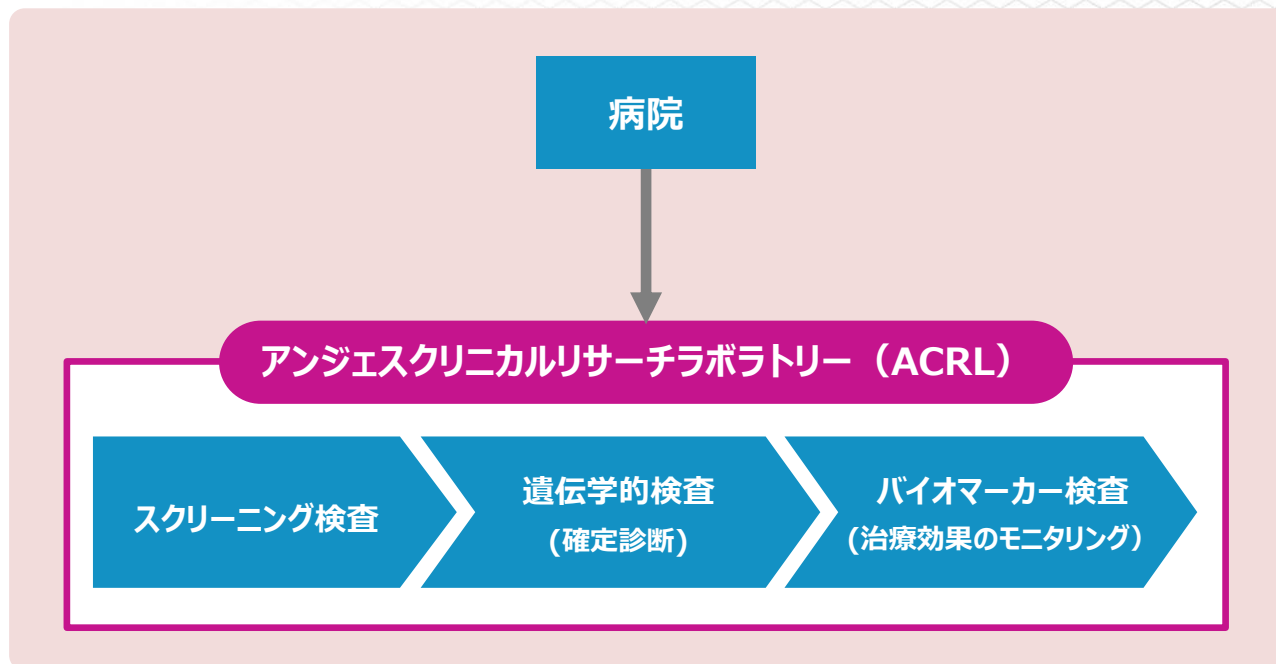
希少疾患診療に携わる
医療関係者の大きな負担になっている。

国内で唯一、希少遺伝性疾患検査における ワンストップ検査を可能に

事業収益性が見込めない等により、希少遺伝性疾患検査の全てを一つの検査機関で実施しているところが少ない中、

ACRLでは、患者や医師が、複数の検査機関に依頼しなくても、

「スクリーニング検査」や、疾患の確定診断を行う「遺伝学的検査」、治療効果のモニタリングを行う「バイオマーカー検査」、と
希少遺伝性疾患検査に必要な体制・機能が備わっている。



ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の特徴

国内では最多の検査項目数となる9疾患のスクリーニング検査が実施可能
またその強みを生かし、ご要望やニーズに沿って検査パッケージをご提案

※下表はACRLが自治体の要望に合わせて検査を受託できるイメージ

自治体	検査項目数	Fabry	Pompe	MPS I	MPS II	MPS IVA	MPS VI	PID/SCID	SMA	ALD
自治体①	9	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL
自治体②	7	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	検査所A	検査所A	ACRL
自治体③	4	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—	—	検査所B	検査所B	—

検査項目を特定のパッケージで委託している自治体がありますが、**ACRLでは、**

- ・9つの疾患**全て**のスクリーニング検査の受託をする
- ・一部**の**疾患の検査のみを受託する

など、要望に応じて、**臨機応変な対応が可能です**

ACRLの当面の取り組み

2023年内には、希少遺伝性疾患検査においてワンストップでの提供開始に向けて、遺伝学的検査の体制を確立してまいります。

希少遺伝性疾患検査

スクリーニング検査

新生児に
遺伝性疾患の可能性があるかを
検査

遺伝学的検査 (確定診断)

スクリーニング検査で
疾患の可能性があると判断された場合、
疾患の有無を確定させる

バイオマーカー検査 (治療効果のモニタリング)

治療開始後、
治療効果・改善状況を判断
するためのデータ提供

新生児マス・スクリーニング (公的マス)

- ・日本出生の全新生児に無償で実施 (自治体負担)
- ・先天性代謝異常症 (フェニルケトン尿症など) や
内分泌疾患 (先天性甲状腺機能低下症など)

拡大新生児スクリーニング

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患
(ポンペ病、ムコ多糖症等)

2024年4月より自治体や関連機関からの直接の受託開始に向けて、引き続き、自治体や医療機関と話し合いを進めていきます。

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



アンジェス ホームページ
<https://www.anges.co.jp>