



AnGes

アンジェス株式会社
2024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～



2024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2四半期決算の概要

2 2024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
- ② ゾキンヴィ
- ③ ACRL

3 その他開発品トピックス

- ④ EmendoBio ゲノム編集技術
- ⑤ Tie2受容体アゴニスト AV-001

01

第2四半期決算の概要

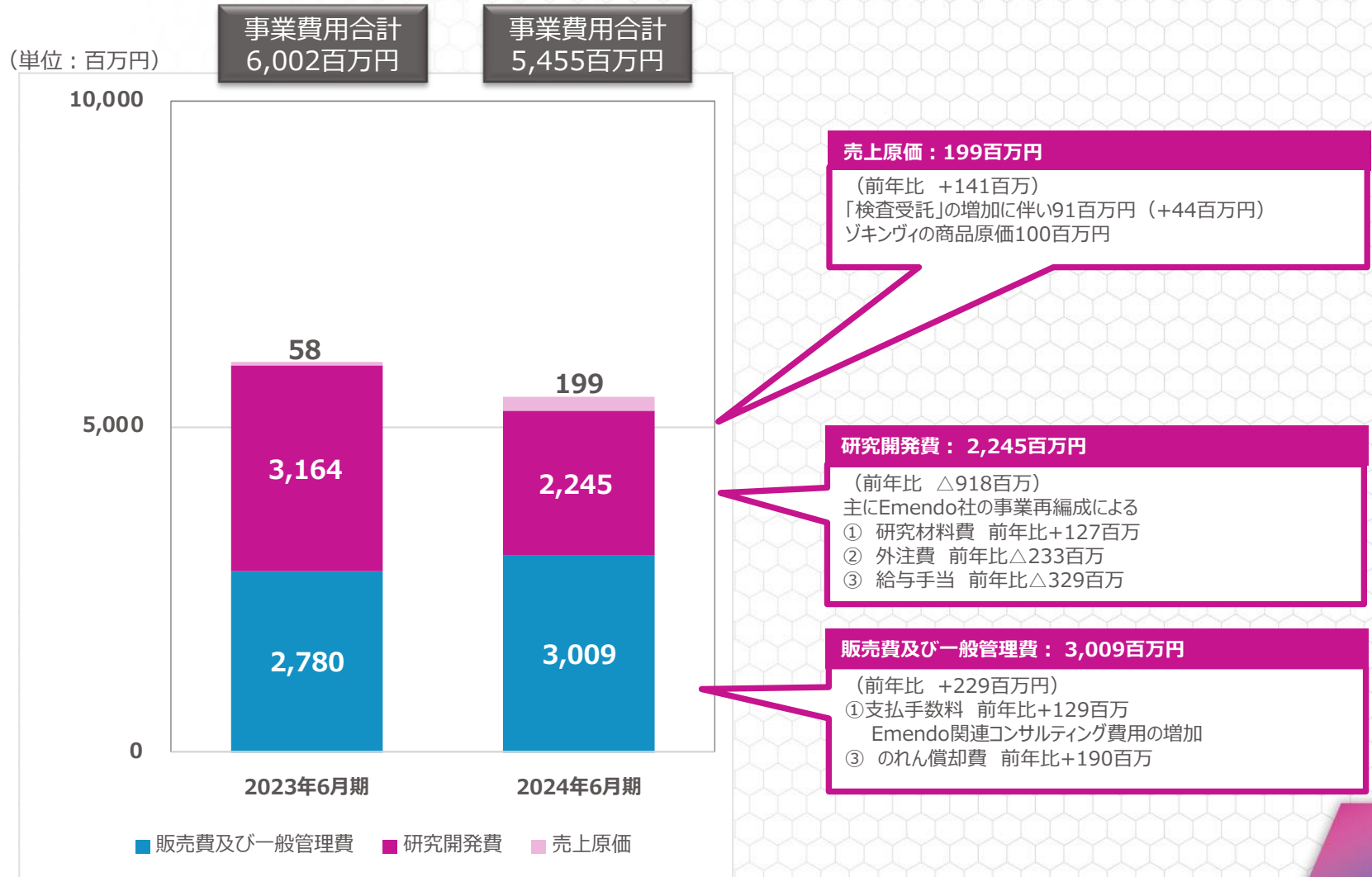
第2四半期連結累計期間の業績

(単位：百万円)

	2023年6月	2024年6月	増減
事業収益	51	347	296
事業費用	6,002	5,455	-546
営業損益	-5,951	-5,107	843
営業外収支	1,174	1,917	742
経常損益	-4,776	-3,190	1,586
特別損益	-1	-227	-226
当期純損益	-4,830	-3,500	1,329

- ・ 当上期の事業収益は、検査受託サービスの受託数が順調に増加したことにより増加
- ・ 為替の円安によるのれんの償却費増はあったが、研究開発費の減少により事業費用は減少

事業費用の内容



連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2023年12月末	2024年6月末	増減
流動資産	5,921	3,591	-2,330
うち現金及び預金	4,160	1,820	-2,339
固定資産	22,971	24,084	1,113
うち「のれん」	21,746	22,943	1,197
総資産	28,892	27,675	-1,217
負債	2,789	2,198	-591
純資産	26,103	25,477	-625

流動資産

- 現預金 1,820百万円 (前年度末比△2,339百万円)
資金調達1,876百万円はあるも、事業支出に伴い前年比減少
- 商品 213百万円 ゴキンヴィの販売に伴い
- 原材料及び貯蔵品
評価損の計上により前期末比△379百万円

固定資産

- のれん残高 22,943百万円 (前年比+1,197百万円)
10年償却による減価償却△1,668百万円はあるも、為替円安に伴う評価替2,866百万円増加

負債

- 買掛金 前年度末比△146百万
- 未払金 前年度末比△165百万円
- 事業構造改革引当金 前年度末比△252百万円

純資産

- 資金調達に伴い資本金/資本剰余金+936百万円
- 当期損失による利益剰余金のマイナス △3,500百万円
- 円安に伴うのれんの評価替に伴う増加
為替換算調整 前年度末比+934百万円

02

2024年12月期 第2四半期 主要トピックス

当社開発プロジェクトの状況

■承認申請プロセス

プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	承認	
							第I相	第II相	第III相			
HGF遺伝子治療用製品 (ベルミンゲンベルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	→	→	→	→	→	検討中		
	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	→	→	→	完了	臨床試験データの速報値で良好な結果を確認			
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	→							
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	→							
NF-kBデコイオリゴDNA	米国/日本	—	注射剤	腰痛症	→	→	→	実施中				
DNAワクチン	オーストラリア	—	注射剤	高血圧	→	→	完了					
DNAワクチン	米国	—	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症(COVID-19)	実施中							
Tie2受容体アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群	→	→	→	前期 実施中				
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger (導入元)	カプセル剤	早老症 HGPS・PDPL*	→ 導入品							承認 販売

*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PDPL」：プロセッシング不全性のプロジェロイド・ラミパチー

2024年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 開発販売戦略の変更

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県での拡大新生児スクリーニング検査の受託開始

2024年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 開発販売戦略の変更

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県での拡大新生児スクリーニング検査の受託開始

HGF遺伝子治療用製品とは？

遺伝子治療とは

特定の遺伝子を患者の体内に入れて
その遺伝子から作られるタンパク質の働きによって病気を治す治療法

HGFとは

肝細胞の増殖を促す物質

1984年、日本にて、最も再生能力の高い臓器である肝臓から一つの成長因子が発見されました。
その因子は、肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor : HGF）と名付けられ、肝臓のみならず、
血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において主要な役割を果たしていることがわかりました。

HGFには、血管を新生する能力があることを発見

1995年、大阪大学の森下竜一教授らの研究チームにより
HGFに「血管を新生する」能力があることが発見され、血管が詰まり血流が悪くなっている
虚血性疾患(きよけつせい しっかん)に対し「血管を新生する」というこれまでにない
作用を有する治療薬「HGF遺伝子治療薬」の開発が始まりました

※「血管を新生する」とは、血管を新しく増やすこと。新生(新しく作る)していくことで、血管が再生されていく。

当社のHGF遺伝子治療用製品は 1つの国内初と4つの世界初となる製品

- ① **国内初**の遺伝子治療用製品
- ② **世界初**のプラスミド（DNA分子）製品
- ③ **世界初**のHGF実用化製品
- ④ **世界初**の末梢血管を新生する治療用製品
- ⑤ **世界初**の循環器医療領域での治療用製品

※以下3機関の承認基準
・FDA（米国）
・EMA（欧州医薬品庁）
・厚生労働省（日本）

* 2019年3月に条件及び期限付製造販売承認を取得した時点での情報です。

HGF遺伝子治療用製品の振り返り

<日本>

<米国>

2014年11月

条件及び期限付き承認制度が施行

2018年1月

条件及び期限付き承認制度を活用し、製造販売承認を申請

2019年3月

条件及び期限付き承認を取得

2019年9月

田辺三菱製薬より販売開始

2023年5月

製造販売本承認を申請

2024年6月

本承認を申請の取り下げ※

2014年

2014年～2016年

グローバル第Ⅲ相試験

米国、欧州、南米15か国を対象に、下肢切断リスクの高い患者を対象に500症例を目指したが、集積数未達により中止

2019年6月

新たなグローバル治療指針(GVG*)公表

2019年11月

新しいガイドラインに沿った臨床試験開始

米国で、下肢切断リスクの低い患者(ステージ1-2)を対象に60症例

2020年

2023年3月

後期第二相臨床試験の患者登録完了

2024年

2024年6月

後期第二相臨床試験の完了
良好な結果を確認

※条件解除に向けた承認申請を取り下げたことに伴い、国内のコレステロールの販売は終了となりました

2024年6月
日本での開発販売戦略の変更

*GVG-Global Vascular Guideline
グローバルでの閉塞性動脈硬化症のうち、包括的高度慢性下肢虚血の治療方針

重症下肢虚血の5年後の死亡率

重症下肢虚血とは

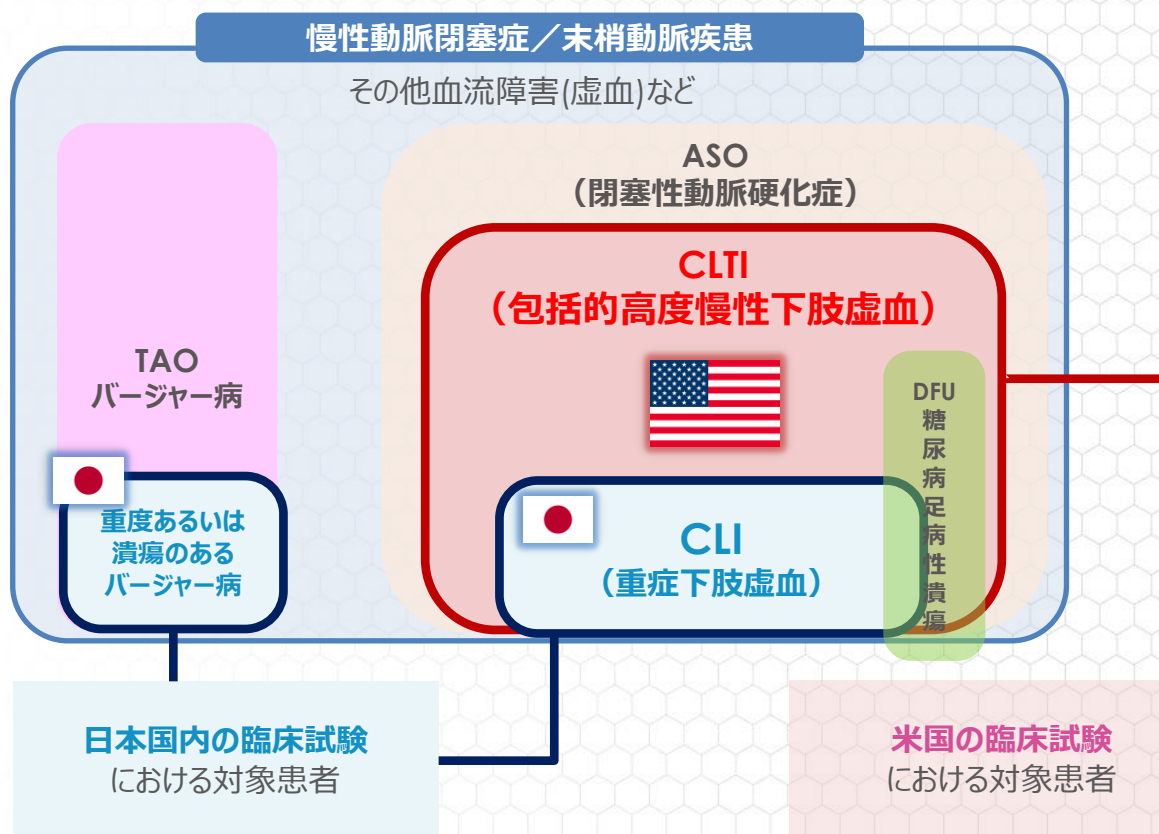
米国の南カリフォルニア大学のアームストロング博士によると
米国での重症下肢虚血の患者の5年後の死亡率は、肺がんに次いで高い重篤な疾患

がん治療と同様に重症下肢虚血についても
早期に治療を開始することが重要

下肢切断リスクの低い患者も対象に含めて後期第Ⅱ相臨床試験を実施

日本と米国の臨床試験における疾患の範囲

2019年の米国でのガイドライン改定と臨床試験の指導医の提案により
 CLIからCLTIに対象を広げ、下肢切断リスクの低い患者も対象に含めて後期第Ⅱ相臨床試験を実施



閉塞性動脈硬化症の**CLI**の潰瘍のある患者または潰瘍のある**TAO**患者を対象としていた

グローバルの新しいガイドラインに沿って、**CLTI**の下肢切断リスクの低い患者を対象に臨床試験を実施

日本での今後の開発販売戦略の変更

新たな申請データパッケージを構築し日本における承認申請を目指す

米国後期第Ⅱ相臨床試験の速報による結果について
血管外科領域で権威ある著名な米国の先生方も結果を高評価

日本における対象患者層、投与量などを見直し

日本における第Ⅲ相臨床試験の結果と
米国における第Ⅱ相臨床試験の結果を中心として
新たな申請データパッケージを構築し
改めて製造販売承認の申請に向けて準備を進めます

2024年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 開発販売戦略の変更

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRLにおける遺伝学的検査の開始

ゾキンヴィについて

2024年5月27日 販売開始

ゾキンヴィ(ロナファルニブ)

【薬価】

91,796.40円/ゾキンヴィカプセル50mg (1カプセル)

136,544.00円/ゾキンヴィカプセル75mg (1カプセル)

【効能、効果又は性能】

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及び
プロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー

<用法及び用量又は使用方法>

ロナファルニブとして開始用量115 mg/ m²(体表面積)を1日2回、朝夕の食事中又は食直後に経口投与し、
4か月後に維持用量150 mg/m²(体表面積)を1日2回、朝夕の食事中又は食直後に経口投与する。
なお、患者の状態に応じて適宜減量する。



「ゾキンヴィ」の日本における
独占販売契約をアイガー社と締結

「ゾキンヴィ」の日本における
製造販売承認を申請

日本における
製造販売承認取得

日本にて
販売開始

2022年

5月

2023年

3月

5月

2024年

1月

5月

希少疾病用医薬品
指定申請

希少疾病用医薬品
指定を受ける

ゾキンヴィについて

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(HGPS)及び
プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー(PDPL)の治療薬

対象疾患

乳児早老症といわれる、「HGPS」と「PDPL」

早老症とは、老化の徴候が実際の年齢よりも早く、全身にわたってみられる疾患の総称
実年齢よりも老化が進む症状が見られるため“早老症”と呼ばれる
HGPSの平均年齢は、14.5歳と報告されています

有効性

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）の
患者において、**死亡率を72%減少**させ、
平均生存期間を4年程度延長させるというデータがあります

安全性

多くのHGPS患者が10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、
報告された副作用は嘔吐、下痢、悪心などが多く、そのほとんどが軽度又は中等度

報道関係者向け説明会を開催

(2024年6月)

「ゾキンヴィ」の発売に合わせて、6月18日に報道関係者を対象とした説明会を実施

大分大学医学部教授・井原健二先生と佐賀大学医学部教授・松尾宗明先生から
「ゾキンヴィ」の対象疾患であるHGPS及びPDPLについて
疾患の特長やその治療に関する説明をしていただきました



今回「ゾキンヴィ」の導入成功が、今後の日本におけるドラッグロス、ドラッグラグ解消に向けた
きっかけになることを期待するとのコメントがあり、報道番組等で紹介されました

詳細は、HPのNewsより([こちらから](#))ご覧いただけます

2024年度 第2四半期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品 開発販売戦略の変更

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県での拡大新生児スクリーニング検査の受託開始

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）では
希少遺伝性疾患検査における“**拡大新生児スクリーニング**”を実施しています。

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

2021年4月より実施

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)

※スクリーニングとは：

第一段階として、大勢の中から疑わしい人をピックアップするため、ふるい分けを行う検査。スクリーニング検査には通常、見逃しが無いよう感度の高い検査法が用いられる。

ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の状況

検査数は年間2倍のペースで増加中

2022年度は約1万件、2023年度は約2万件的
拡大新生児スクリーニング検査を実施
2024年度は約4万件的の受託見込み

2022年度
1万件/年

2023年度
2万件/年

2024年度
4万件/年(見込み)

検査数は年間2倍ペースで増加中

引き続き、受託先の拡大と検査対象疾患の拡大に取り組む

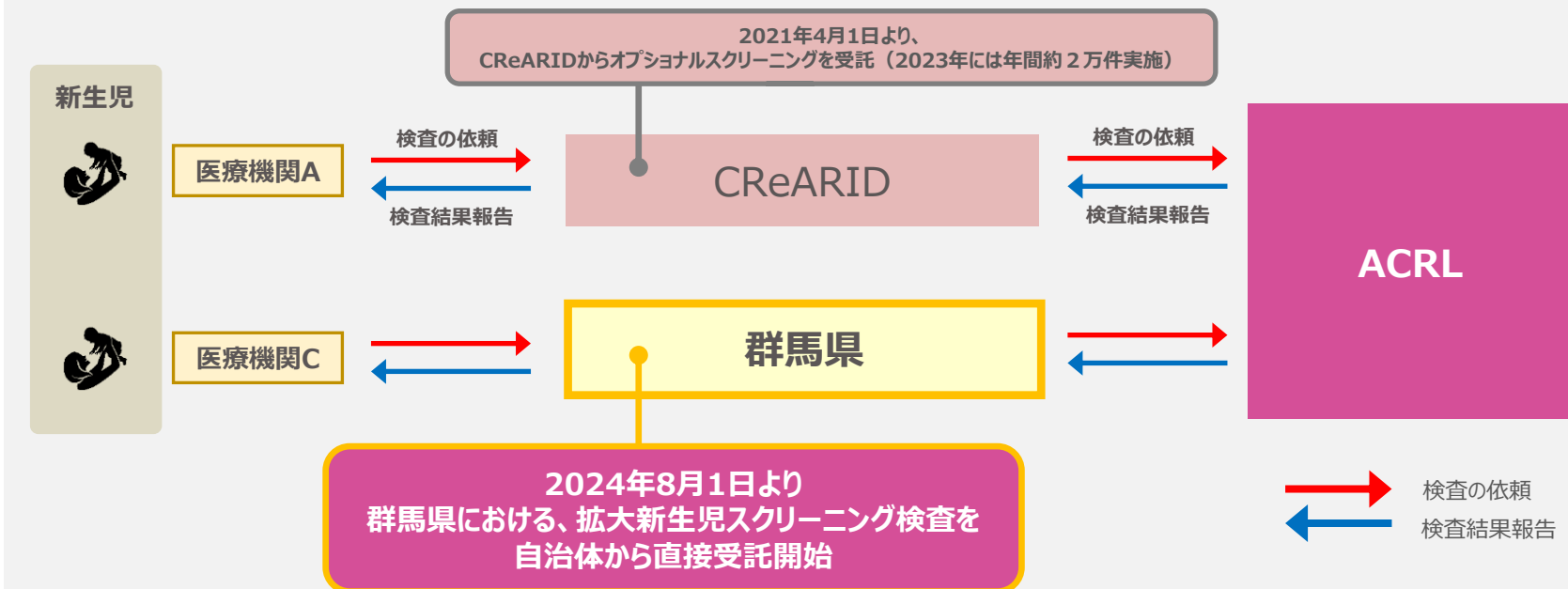
群馬県の拡大新生児スクリーニング検査の受託開始

早期診断・早期治療が極めて有効な希少遺伝性疾患の7疾患※を対象として
希望者に有償で行う拡大新生児スクリーニング検査に関して、
本年8月1日より群馬県健康づくり財団から受託する契約を締結

※対象の7疾患：

ムコ多糖症I型、II型、IVA型、VI型、ファブリー病（男児のみ）、ポンペ病、副腎白質ジストロフィー（ALD：男児のみ）

拡大新生児スクリーニング検査の流れ



遺伝学的検査の受託開始

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

ゾキンヴィの発売に合わせ
対象疾患の確定検査を受託開始

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
(ポンベ病、ムコ多糖症等)

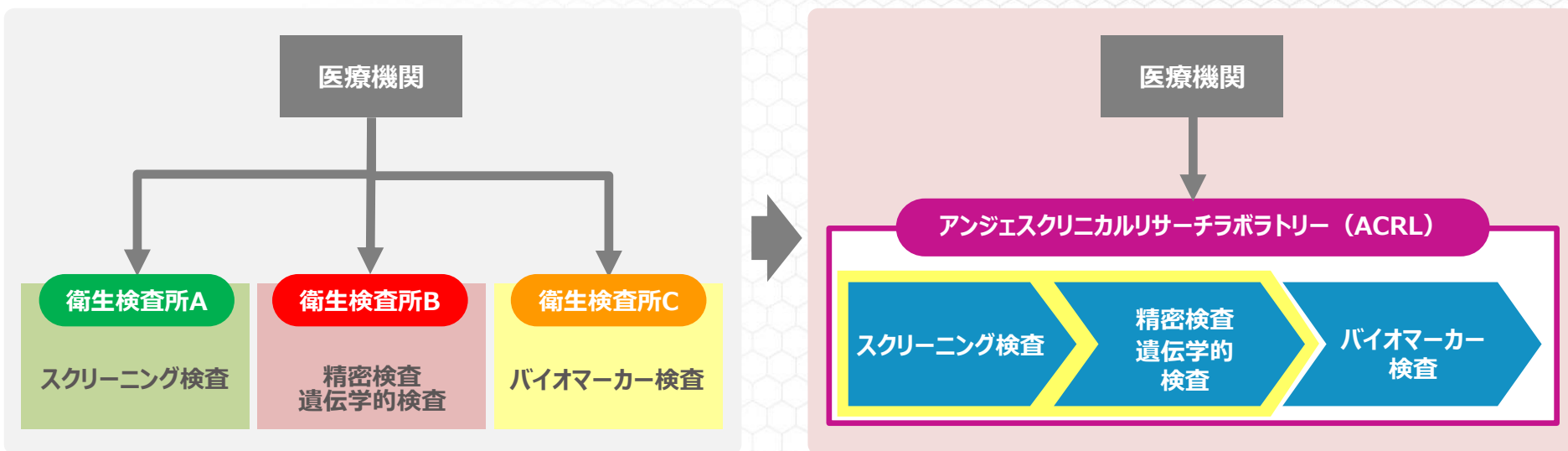
希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供

ACRLでは、希少遺伝性疾患に関する各種検査を一貫して提供できる体制構築を目指します

疾患の可能性の有無を調べる「**スクリーニング検査**」

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**」



03

その他開発品トピックス

A network diagram with nodes and connecting lines, overlaid on a hexagonal grid background.

その他

4

Emendo社のゲノム編集技術をライセンス

5

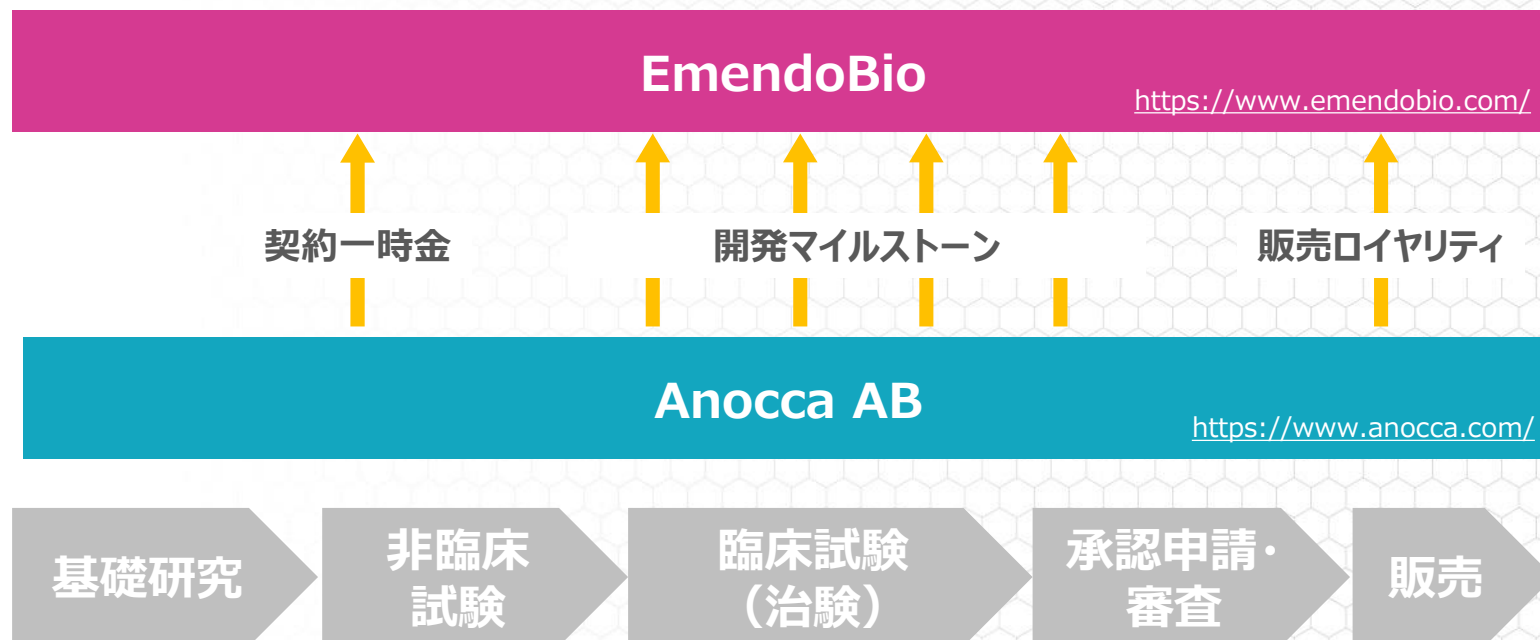
Tie2受容体アゴニストの第Ⅱ相臨床試験

ライセンス契約内容

2024年3月14日

Emendo社がスウェーデンのAnocca社とライセンス契約

(Emendo社が開発したゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権の供与)



TCR-T細胞による治療

Anocca社は、Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼを使用し
固形がんのKRASタンパク質変異を標的としたTCR-T細胞療法の開発を進める

EmendoBio

従来型のCas9よりも正確で
効率的なゲノム編集が可能な
OMNIヌクレアーゼ

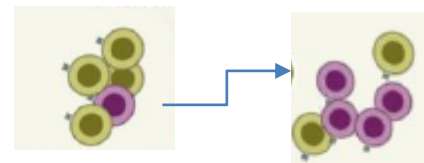


emendo^{bio}

+

Anocca AB

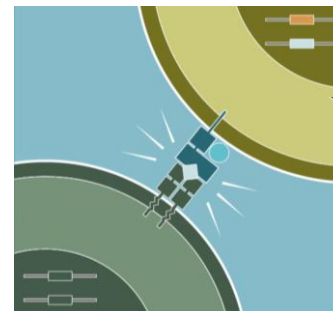
特定の抗原を認識するTCRを
発現するT細胞を選別、
培養する技術



anocca

がん細胞特異的な抗原を認識する 人工T細胞（TCR-T細胞）の作製

Anocca社は様々ながんの特異的TCR受容体ライブラリを保有しており
EmendoBio社のOMNIヌクレアーゼを使って患者のT細胞に
対象となるがんのTCR受容体遺伝子を組み込み、TCR-T細胞を作製する



免疫療法について

患者さん自身が持っている免疫細胞の一つであるT細胞を採取して
がんと戦うように強化して体に戻す治療法



患者さん自身の免疫細胞が元となっているため
正常な組織が攻撃される心配がない

血液のがん

造血組織の異常によって発生したもの
かたまりを作らずに増える
(白血病、悪性リンパ腫、骨髄腫など)



CAR-T細胞治療法

固形がん

がん細胞が集まってできたもの
かたまりで増える
(膵がん、肺がん、大腸がん、食道がんなど)



Anocca AB

TCR-T細胞治療法

EmendoBio

CAR-T細胞療法はキメラ抗原受容体を遺伝子改変技術によりT細胞に導入し、体外で増殖させて患者に輸注する治療法です。CAR-Tは血液がんでは大きな成功を収めていますが、細胞表面の抗原しか認識することができないため、固形がんには適用するには課題があります。

細胞内に存在するがん関連抗原を認識するTCR受容体を発現させた人工T細胞（TCR-T細胞）はCD19 CAR-Tに代表される血液腫瘍を狙ったCAR-Tとは異なり、**固形がん**への適用が可能です。**手術不能な難治性固形がん**に対する**副作用の少ない治療法**として大きな注目を集めています。



その他

4

Emendo社のゲノム編集技術をライセンス

5

Tie2受容体アゴニストの第Ⅱ相臨床試験

前期第Ⅱ相臨床試験の進捗

米国FDAよりFast Trackの指定を受けました

Fast Trackとは

重篤な疾患に対する治療薬やアンメットメディカルニーズに対する薬剤を優先的に審査する制度

優秀な医薬品をより早く患者に届けることを目的としています

Fast Trackのメリット

FDAとのより頻繁な会議やコミュニケーション

迅速承認と優先審査

全てのデータが揃う前に承認申請を行い五月雨式の審査を受けることが可能

2024年末までに目標症例数の登録を目指す

「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>