

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

アンジェス

4563 東証マザーズ

[企業情報はこちら >>>](#)

2017年9月11日(月)

執筆：客員アナリスト

佐藤 譲

FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**



FISCO Ltd.

<http://www.fisco.co.jp>

目次

■ 要約	01
1. 重症虚血肢を対象疾患とした HGF 遺伝子治療薬の承認申請を 2017 年秋に目指す	01
2. 海外で複数プロジェクトの治験を開始予定	01
3. 米国での新たな臨床試験実施に向けた新株予約権発行による資金調達を発表	01
■ 会社概要	02
1. 会社沿革	02
2. 事業の特徴とビジネスモデル	04
■ 主要パイプラインの開発状況	05
1. HGF 遺伝子治療薬	05
2. NF- κ B デコイオリゴ	06
3. 高血圧 DNA ワクチン	07
4. その他開発プロジェクト	08
5. 中止・中断するプロジェクト	09
■ 業績動向	09
1. 2017 年 12 月期第 2 四半期の業績概要	09
2. 2017 年 12 月期以降の業績見通し	10
3. 財務状況	11
■ 長期ビジョン	12

■ 要約

2017年秋に重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の承認申請を目指す

アンジェス <4563> は、1999年に設立された大阪大学発の創薬ベンチャー。遺伝子医薬に特化した開発を進めている。新薬候補品を開発し、販売パートナーとの販売権許諾契約によって得られる契約一時金や、開発の進捗状況等によって得られるマイルストーン収益、上市後の製品売上高にかかるロイヤリティ収入を獲得するビジネスモデルとなる。2017年7月より会社名をアンジェス MG 株式会社からアンジェス株式会社に変更している。

1. 重症虚血肢を対象疾患とした HGF 遺伝子治療薬の承認申請を 2017年秋に目指す

2017年8月1日付で国内における重症虚血肢を対象疾患とした HGF 遺伝子治療薬の医師主導型臨床研究において目標としていた6例目の観察期間が終了したと発表した。6症例のデータの取りまとめが行われ、結果が良ければ、承認申請を2017年秋頃に提出し、2018年中の条件及び期限付承認制度による承認獲得を目指していく。今回の医師主導型臨床研究は、2004～2007年に実施した第3相臨床試験の結果（40症例実施、有効性が統計的有意差が認められた）の再現性を求められたものであることから、承認申請の可能性は高いと社では見ている。この承認が得られれば契約先である田辺三菱製薬 <4508> からマイルストーン収入が得られるものと弊社では見ている。

2. 海外で複数プロジェクトの治験を開始予定

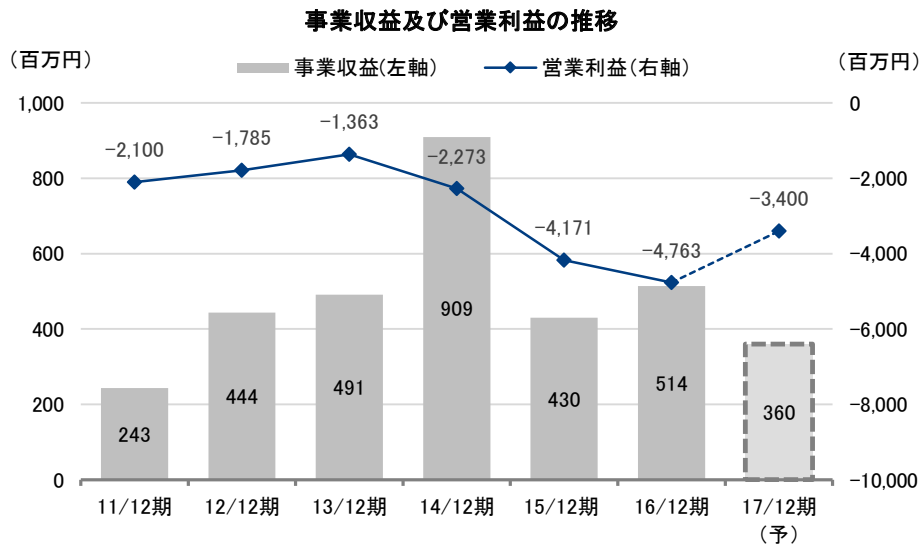
海外では、2017年後半から複数のプロジェクトにおいて治験が開始される予定となっている。米国では椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B（エヌ・エフ・カッパ・ビー）デコイオリゴ DNA の第1b相臨床試験、オーストラリアでは高血圧 DNA ワクチンの第1/2相臨床試験が開始される。いずれも2019年に終了する見込みで、結果が良好であればライセンスアウトすることも検討している。特に、高血圧 DNA ワクチンは市場規模が大きいに注目される。また、重症虚血肢を対象とした HGF 遺伝子治療薬についても、米国で現在治験計画を策定中、2017年末までには詳細を決定したいという。

3. 米国での新たな臨床試験実施に向けた新株予約権発行による資金調達を発表

2017年12月期第2四半期累計（2017年1月-6月）の連結業績は、事業収益で前年同期比0.3%減の169百万円、営業損失で1,702百万円（前年同期は2,796百万円の営業損失）となった。治験費用の減少により損失額は縮小したものの、開発費用が先行する状況に変わりはない。通期業績についても事業収益は前期比30.0%減の360百万円、営業損失は3,400百万円（同4,763百万円の損失）と損失が続く見込みとなっている。2018年12月期も治験費用等の研究開発費負担が重く、営業損失が続く見通しだ。このため、同社は2017年8月28日付で第三者割当による新株予約権の発行を発表した。当初行使価額の671円（下限行使価額336円）で全て行使されたとすれば、8,066百万円を調達できることになる（株式の希薄化率は約15%）。調達した資金は主に米国での HGF 遺伝子治療薬の新たな臨床試験の実施等に充当する予定となっている。

Key Points

- ・大阪大学発のバイオベンチャーで、遺伝子医薬に特化した開発を進める
- ・HGF 遺伝子治療薬の国内承認申請に向けた準備が進む
- ・遺伝子医薬のグローバルリーダーとなり、売上高 500 億円以上を目指す



出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 会社概要

大阪大学発のバイオベンチャーで、遺伝子医薬に特化した開発を進める

1. 会社沿革

同社は 1999 年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーである。HGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用の研究成果を事業化することを目的に設立された。

HGF 遺伝子治療薬では 2001 年に第一製薬（株）（現 第一三共 <4568>）と独占的販売権許諾契約を結んだが、その後提携関係を解消しており、代わりに田辺三菱製薬 <4507> と 2012 年に米国市場、2015 年に国内市場で末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結し、上市に向けた開発を進めている。

会社概要

もう1つの主力開発品である核酸医薬品のNF- κ B デコイオリゴは、アトピー性皮膚炎（顔面で中等症以上の患者が対象）治療薬として開発を進め、2005年にアルフレッサファーマ（株）と共同開発契約を締結したが、開発方針の転換により2008年に共同開発契約を終了。2010年に塩野義製薬<4507>と独占販売権許諾契約を締結した。2016年7月に臨床試験の結果で主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的な有意差が得られなかったため、詳細なデータの検証を行い、今後の開発方針を検討しているところである。

また、2016年には第3のパイプラインとして開発を進めているDNAワクチン領域において、開発実績や製造ノウハウを持つ米国のVicalに追加出資（出資比率2.4%→18.6%）を行うとともに戦略的事業提携を締結し、2017年4月には慢性B型肝炎の治療を旨とした遺伝子治療薬の共同開発を行う契約を締結している。

このほか、導入品として、希少疾病であるムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の国内販売権を、米バイオマリンファーマシューティカル（以下、バイオマリン）から2006年に取得し、2008年より販売を開始しているほか、2013年に韓国バイオリーダーズから導入したCIN治療ワクチンについては、2016年12月に森下仁丹<4524>に独占的開発・製造・販売権の再許諾を行う契約を締結している。

連結子会社は2社あり、米国子会社はHGF遺伝子治療薬の開発拠点として、英国子会社は欧州地域における情報収集やライセンス活動の拠点として事業活動を行っている。ただ、いずれも規模は小さく、連結業績に与える影響は軽微となっている。なお、同社は2017年7月より会社名をアンジェスMG株式会社からアンジェス株式会社に変更している。

会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療薬、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として設立
2001年10月	米国での臨床開発を目的として、アンジェス インク（連結子会社）を設立
2002年 6月	欧州での臨床開発を目的として、英国にアンジェス ユーロ リミテッド（連結子会社）を設立
2002年 9月	東京証券取引所マザーズ市場に上場
2006年12月	ムコ多糖症VI型治療薬（ナグラザイム）の国内での販売に関し、米国バイオマリン ファーマシューティカルと提携
2008年 4月	ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始
2010年12月	NF- κ B デコイオリゴのアトピー性皮膚炎分野において、塩野義製薬（株）と共同開発するライセンス契約を締結
2012年10月	田辺三菱製薬との間でHGF 遺伝子治療薬の米国における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2013年 4月	韓国バイオリーダーズとCIN 治療ワクチンの国内外における開発・製造・販売の独占的実施許諾契約を締結
2014年10月	HGF 遺伝子治療薬の国際共同第3 相臨床試験開始（2016年6月に中断、開発方針を変更）
2015年 6月	田辺三菱製薬との間でHGF 遺伝子治療薬の国内における末梢性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結
2015年10月	DS ファーマアニマルヘルス（株）と高血圧DNA ワクチンの動物用医薬品に関する共同開発契約を締結
2016年 7月	新たなドラッグデリバリーシステムについて大阪大学と共同研究契約を締結
2016年 8月	米国 Vical に追加出資（出資比率2.4%→18.6%）
2016年12月	CIN 治療ワクチンの開発・製造・販売権を森下仁丹に再許諾
2016年12月	DNA ワクチン分野で米国 Vical と戦略的事業提携契約を締結
2017年 4月	米国 Vical と慢性 B 型肝炎の治療を旨とした遺伝子治療薬の共同開発契約を締結

出所：有価証券報告書、ニュースリリースよりフィスコ作成

会社概要

2. 事業の特徴とビジネスモデル

同社の事業の特徴は、遺伝子の働きを活用した医薬品である遺伝子治療薬、核酸医薬、そして DNA ワクチンを遺伝子医薬として定義し、その研究開発に特化していることにある。開発の対象疾患は、社会的な使命であると同時に確実な需要が存在する「難治性疾患」や「有効な治療法がない疾患」としている。また、自社開発品以外にもこうした事業方針と合致する開発候補品を海外のベンチャーや大学等の研究機関から導入し、開発パイプラインの強化とリスク分散を行っている。

同社は研究開発に特化しており、原薬の製造は外部の専門機関に委託している。また、販売についても開発品や地域ごとに大手製薬企業と販売権許諾契約を締結し、上市後も自社販売は行わないことを基本戦略とする。このため連結従業員数は、2017年6月末時点で57名と小規模となっている。なお、現在販売している商品は、バイオマリンから導入しているナグラザイムのみで、自社開発品の上市実績はまだない。

同社のビジネスモデルは、遺伝子医薬の開発を行い、開発の過程で販売権許諾契約（または共同開発・販売権許諾契約）をパートナー企業と締結することで得られる契約一時金収入、開発の進捗に応じて得られるマイルストーン収入及び上市後の製品売上高に対して一定料率で発生するロイヤリティ収入で収益を獲得していくモデルとなる。臨床試験の規模や期間は対象疾患等によって異なるが、第1相から第3相臨床試験までおよそ3～7年程度かかると言われている。臨床試験の結果が良ければ、規制当局に製造販売の承認申請を行い、おおむね1～2年の審査期間を経て問題がなければ承認、上市といった流れとなる。

現在は開発ステージのため収益も損失が続いているが、開発品が上市されれば利益化も視野に入ってくる。特に主要開発パイプラインである HGF 遺伝子治療薬や NF- κ B デコイオリゴについては、自社主導の開発と先行投資を行っているため、ロイヤリティ料率も一般的な水準より高く設定されており、上市後の収益へのインパクトも大きくなることが予想される。

一般的な新薬開発のプロセスと期間

プロセス	期間	内容
基礎研究	2～3年	医薬品ターゲットの同定、候補物質の創製及び絞り込み
前臨床試験	3～5年	実験動物を用いた有効性及び安全性の確認試験
臨床試験	3～7年	第1相：少数の健康人を対象に、安全性及び薬物動態を確認する試験 第2相：少数の患者を対象に、有効性及び安全性を確認する試験 第3相：多数の患者を対象に、有効性及び安全性を最終的に確認する試験
申請・承認	1～2年	国（厚生労働省）による審査

出所：有価証券報告書よりフィスコ作成

■ 主要パイプラインの開発状況

HGF 遺伝子治療薬の国内承認申請に向けた準備が進む

同社の主要開発パイプラインは、HGF 遺伝子治療薬、NF- κ B デコイオリゴ、DNA 治療ワクチンなどがある。各パイプラインの概要と今後の開発方針は以下のとおり。

主要パイプラインの開発スケジュール

プロジェクト	適応症	地域	2015年	2016年	2017年	2018年	2019年	提携先	市場規模
HGF遺伝子治療薬	重症虚血肢	日本	医師主導臨床研究実施中		条件及び期限付承認申請	条件及び期限付承認、上市、本承認へ		田辺三菱製薬 (日本、米国)	中～大
		米国	グローバル第3相試験中断		米国での新試験を策定				大
NF- κ B デコイオリゴ	椎間板性腰痛症	米国			2017年後半から第1/2相試験を米国にて実施予定			-	大
NF- κ B デコイオリゴ (軟膏剤)	アトピー性皮膚炎	日本	治験で統計的有意差得られず、今後の開発方針を検討					塩野義製薬 (全世界)	小～中
DNA治療ワクチン	高血圧症	豪州			2017年後半から第1/2相試験をオーストラリアで実施予定			-	大

出所：決算説明資料及び会社ヒアリングよりフィスコ作成

1. HGF 遺伝子治療薬

HGF 遺伝子治療薬では血管新生作用の効果を活用して、重症虚血肢を対象とした開発を進めている。重症虚血肢とは、安静時でも疼痛を感じる重度の末梢性血管疾患を指す。血管が閉塞することによって血流が止まり、下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患となる。HGF 遺伝子治療薬を血管が詰まっている部位周辺に注射投与することによって新たな血管を作り出し、血管新生による血流回復によって症状の改善を図る効果が期待されている。重症虚血肢の患者数は米国だけで推定 50 万人とみられ、このうち現在の治療法（血管内治療や外科的バイパス手術）の適応とならない患者、あるいはこれら治療法を行うリスクが高いと判断される患者数は 10～20 万人（国内では 1～2 万人）と推定されており、こうした患者を対象とした場合の市場規模は約 50 億ドルと推計されている。

国内では大阪大学医学部附属病院が主導となり、2014 年 10 月より先進医療 B 制度を活用した医師主導型臨床研究を実施している。2017 年 8 月 1 日付で、予定症例 6 例全ての観察期間が終了したことを発表した。現在は、これらデータの取りまとめが行われており、結果が良好であれば承認申請を 2017 年秋に行う予定で、順調に進めば 2018 年中の条件及び期限付承認制度による承認が下りる可能性がある。今回の医師主導型臨床研究は、2004～2007 年に実施した第 3 相臨床試験の結果（40 症例実施、有効性で統計的有意差が認められた）の再現性を求められたものだが、第 3 相臨床試験では有効性が確認されていることもあり、承認申請できる可能性は高いと同社では見ている。承認されれば国内で開発された初の遺伝子治療薬となる。なお、条件付承認を得られた段階で、マイルストーン収入を獲得できるものと弊社では見ているが、金額的には軽微と考えられる。

主要パイプラインの開発状況

一方、海外では2014年10月から実施してきた第3相のグローバル臨床試験を2016年6月に中止し、現在は米国市場での承認取得を目指すべく、協業先である米スタンフォード大学^{*}と共同で過去の臨床試験データの解析を行い、同社において新試験の計画を策定している段階にある。同社では少ない症例数かつ短期間で終了するような治験デザインを検討しており、主要評価項目も国内と同様「痛みや潰瘍の改善」としてFDA（米食品医薬品局）と協議を進めていく方針となっている。まずは国内の条件及び期限付申請を最優先に取り組んでいることから、臨床試験開始許可（IND）の申請時期及び治験の開始時期は2018年以降にずれ込む可能性がある。なお、治験はスタンフォード大学医学部を中心に限られた少数の施設で実施することを想定している。また、欧州市場については米国での開発にめどが立ったタイミングで、EMA（欧州医薬品庁）との協議を開始する意向となっている。

^{*}スタンフォード大学医学部内にあるSLDDDRS（Stanford Laboratory for Drug, Device Development & Regulatory Science）と呼ばれる組織と協業している。SLDDDRSは、同大医学部のRonald G. Pearl教授が中心となり、革新的な医薬品・医療機器の開発戦略の構築、臨床試験に関する新たな手法の開発と推進、そのために必要なスタンフォード大他組織との連携などを手掛けている。

2. NF-κB デコイオリゴ

NF-κB デコイオリゴは、人工核酸により遺伝子の働きを制御する「核酸医薬」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を担う「転写因子NF-κB」に対する特異的な阻害剤となる。主にNF-κBの活性化による過剰な免疫・炎症反応を原因とする疾患の治療薬として、研究開発を進めている。

(1) 椎間板性腰痛症（注射投与）

椎間板性腰痛症を適応症とした治療薬となり、患部に注射投与することによって、慢性腰痛に対する鎮痛効果とともに、椎間板変性に対しても進行抑制や修復を促す効果が期待できる新タイプの腰痛治療薬として、米国での開発が進められている。米国では患者数が多いだけでなく、椎間板内注射による治療法が一般的となっており、手技に習熟している医師が多いためだ。2017年4月にFDAから第1b相臨床試験開始許可の承認が下り、2017年後半からカリフォルニア州立大学サンディエゴ校等において実施する予定となっている。症例数は24症例で、観察期間は1年となっている。同試験によってPOC^{*}を取得できれば、ライセンスアウト交渉を進めていく方針である。

^{*} POC（Proof of Concept）：研究で予測された開発段階にある新薬の有効性をヒトで実証すること。

(2) アトピー性皮膚炎（軟膏剤）

アトピー性皮膚炎患者のうち、顔面に中等症以上の皮疹を有する患者を対象に第3相臨床試験を国内で実施してきたが、主要評価項目においてプラセボ群に対する統計学的有意差が得られなかったため2016年7月に承認申請を断念、現在は臨床試験のデータを検証し、今後の開発方針を検討している段階にある。

現状では、アトピー性皮膚炎患者の中でもある特定の症状の患者に対しては、薬効が認められるデータ結果が得られており、同症状に絞って開発を継続していく可能性もある。ただ、対象患者数は当初想定のおおよそ8～9万人から数分の1程度に減少するため、仮に上市まで進んだとしても収益性の面で厳しくなる。一方、ステロイドよりも副作用が少ないといった長所を生かすことで、市場規模を拡大できる可能性もある。同社はこうした点を踏まえ、販売提携先である塩野義製薬の意向も確認しながら、今後の開発方針を決定することとしている。

主要パイプラインの開発状況

(3) 改良型デコイ「キメラデコイ」の製品開発を開始

同社は2016年7月に、改良型デコイ「キメラデコイ」の基盤技術開発を完了し、製品開発を開始したと発表した。従来のNF- κ Bデコイオリゴと比較して、「STAT6」と「NF- κ B」という炎症に関わる2つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持つため、従来のNF- κ Bデコイオリゴに比べ格段に高い炎症抑制効果を持つことが動物実験で明らかとなっている。また、生体内での安定性に優れるほか、NF- κ Bデコイオリゴよりも分子量が3~4割少ないため生産コストも低くなるといった長所を持つ。

同社では具体的な対象疾患として、喘息、慢性関節リウマチ、変形性関節症、クローン病（炎症性腸疾患）などの炎症性疾患を想定している。なお、既に開発が進行中の椎間板性腰痛症については既存のNF- κ Bデコイオリゴで開発を継続するが、今後新たに開発するものに関しては基本的に「キメラデコイ」を進めていくことになる。

3. 高血圧 DNA ワクチン

DNA治療ワクチンの1つとして、高血圧症を対象としたDNAワクチンの開発を進めている。大阪大学の森下教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、昇圧作用を有する生理活性物質アンジオテンシンIIに対する抗体の産生を誘導し、アンジオテンシンIIの作用を減弱させることで、長期間安定した降圧作用を発揮するワクチンとなる。

高血圧治療薬の市場規模は国内だけでも5,000億円以上、世界では数兆円規模となっており、この一部を代替することを目指している。現在、主力の治療薬としてはARB（アンジオテンシンII受容体拮抗薬（経口薬））があるが、毎日服用する必要があるほか薬価も高い。このため、発展途上国では医療経済上の問題から使用が限定的となっている。同社が開発するDNAワクチンは高薬価になると想定されるが、1回の治療で長期間の薬効が期待できるため、トータルの治療コストは低くなる可能性があり、開発に成功すれば発展途上国も含めて普及拡大が期待される。

同社では、オーストラリアにおいて2017年7月に臨床試験届けを規制当局であるTGA（薬品・医薬品行政局）に提出済みとなっている。実質的な審査機関であるHREC（Human Research Ethics Committee）の審査は既に終了しており、2017年後半から、第1/2相臨床試験を開始する予定となっている。症例数は24例で、観察期間は1年、試験の終了時期は2019年中を目途としている。安全性や副作用等の確認だけでなく有効性の確認も行うことになる。同プロジェクトに関しては潜在市場が大きいこともありグローバル製薬企業からの注目度も高い。このため、POCを取得した段階でライセンス契約が決まる可能性もあり、今後の動向が注目される。

なお、DNAワクチンに関しては出資先であるVicalと戦略的事業提携契約を締結している。アンジェスはDNAワクチン分野を、遺伝子治療薬及び核酸医薬に次ぐ第3の柱として育成していく考えで、そのためにDNAワクチンで長年の経験と広範な知識・開発ノウハウを持ち、製造設備も保有するVicalは最良のパートナーと判断したためだ。

主要パイプラインの開発状況

なお、高血圧 DNA ワクチンについては、犬慢性心不全を対象とした動物用医薬品としての開発も、共同開発先である DS ファーマアニマルヘルス(株)※で行われている。また、東京大学医学部附属病院の寄附講座において、脳梗塞や心筋梗塞の発症率を低下させる効果があることなども研究成果として挙がっており、同病院の研究グループにて論文も発表されている。

※ 大日本住友製薬 <4506> の子会社、2015 年 10 月に共同開発契約締結を発表した。

4. その他開発プロジェクト

(1) 慢性 B 型肝炎遺伝子治療薬

2017 年 4 月に Vical と慢性 B 型肝炎の治癒を目指した遺伝子治療薬を共同開発していくことを発表した。今回の共同開発契約で同社は、日本における開発・販売権を対象とした優先交渉権を獲得している。慢性 B 型肝炎の持続的なウイルス感染者(キャリア)数は、国内で 130 万人以上、世界で約 3.5 億人いると推計されている。現在の標準的な治療法である抗ウイルス剤の投与では、ウイルスを完全に排除することができないため治癒には至らず、基本的には生涯にわたって薬剤を服用し続ける必要がある。B 型肝炎治療薬の市場規模は 2021 年に世界で約 4,200 億円まで拡大することが予想されている。

今後の開発スケジュールとしては、2018 年春まで約 1 年かけてマウスを使った実験を共同で実施し、その効果を確認する。好結果が得られた場合には、次の段階に進むことを Vical と協議することになる。同プロジェクトについても潜在市場が大きいだけに、ヒトでの POC を取得した段階でライセンス契約できる可能性がある。同社業績への影響としては、日本エリアを対象とした契約金やロイヤリティ収入等を獲得できることになる。

(2) エボラ出血熱抗血清製剤

エボラ出血熱に対する抗血清製剤の開発を 2015 年より進めている。エボラウイルスのタンパク質をコードとする DNA ワクチンをウマに接種し、その血清に含まれる抗体を精製して抗血清製剤を製造する。DNA ワクチン技術を保有する Vical より国内の独占的開発販売権を取得し、現在はワクチンと感染症の研究開発で世界有数の施設を持つカナダのサスカチュワン大学と共同で、本製剤の特性、品質の検証を進めている段階にある。既に試験管レベルでの薬効は確認されており、今後は動物試験での検証を行って良好なデータが得られれば、製薬企業とライセンス契約を締結、またはライセンスアウトする計画となっている。2017 年の冬頃には動物実験の結果が判明する見通しとなっている。主に罹患者の治療用や感染リスクの高い医療従事者等の携帯用、備蓄用等の緊急対策用の需要を想定している。

(3) CIN 治療ワクチン(参考)

韓国バイオリーダーズから導入した CIN 治療ワクチン(子宮頸がん前がん病変治療ワクチン)については、2016 年 12 月に森下仁丹に国内外の独占的開発・製造・販売権の再許諾を行っている。今後は森下仁丹が開発を進めていくことになる。同ワクチンの開発に成功し、上市されれば、販売額に応じた一定のロイヤリティ収入を同社が受け取ることになる。

5. 中止・中断するプロジェクト

同社は経営リソースを有効活用していくため、研究開発プロジェクトの優先付け並びに絞り込みを行っており、今回、2つのプロジェクトについての中止・中断を発表した。

1つ目は、リンパ浮腫を対象に開発を進めてきた HGF 遺伝子治療薬の開発プロジェクトで、2017 年春に国内での第 1/2 相臨床試験の結果が判明し、主要評価項目である浮腫の体積に大きな減少が認められなかったことを受け、同社が実施する企業試験としては次の開発ステージに進まないことを決定した。ただし、医師主導試験や臨床研究の実施には協力し、その中で良好な結果が得られれば自社開発を再開する可能性もあるとしている。

2つ目は、提携先の Vical から導入していた固形がんを対象とした治療薬候補「アロベクチン」で、Vical がメラノーマを対象に実施した第 3 相臨床試験で統計的有意差が得られなかったものだが（2013 年発表）、同社ではその後も他の固形がんへの適応を検討してきた。しかし、抗体医薬を中心にがん領域における新薬が登場し、市場環境が激変したことを背景に、同プロジェクトを継続しないことを決定した。

■ 業績動向

2017 年 12 月期第 2 四半期累計業績は 研究開発費の減少により営業損失が縮小

1. 2017 年 12 月期第 2 四半期の業績概要

2017 年 12 月期第 2 四半期累計の連結業績は、事業収益で前年同期比 0.3% 減の 169 百万円、営業損失で 1,702 百万円（前年同期は 2,796 百万円の損失）、経常損失で 1,698 百万円（同 2,821 百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失で 2,299 百万円（同 2,825 百万円の損失）となった。

事業収益の内訳を見ると、「ナグラザイム」の売上高が前年同期比 1.1% 増の 169 百万円と堅調に推移し、研究開発事業収益は同 96.1% 減の 0.1 百万円となった。事業費用では研究開発費が前年同期比 42.2% 減の 1,391 百万円と大きく減少した。主に NF- κ B デコイオリゴのアトピー性皮膚炎治療薬の第 3 相臨床試験及び非臨床試験にかかる費用が減少したことが要因となっている。また、販管費については租税公課の減少により、同 15.6% 減の 397 百万円となった。これら事業費用の減少に伴い、営業損失は前年同期と比較して 1,093 百万円縮小した。また、特別損失として Vical の株式評価損 476 百万円を計上したほか、事業用資産の減損損失 112 百万円を計上しており、親会社株主に帰属する四半期純損失については前年同期比で 525 百万円の縮小にとどまった。

業績動向

2017年12月期第2四半期累計業績(連結)

(単位:百万円)

	16/12期2Q		17/12期2Q	
	実績	実績	前年同期比	増減額
事業収益	169	169	-0.3%	-0
事業費用	2,966	1,871	-36.9%	-1,094
売上原価	85	82	-4.0%	-3
研究開発費	2,409	1,391	-42.2%	-1,017
販管費	471	397	-15.6%	-73
営業利益	-2,796	-1,702	-	1,093
経常利益	-2,821	-1,698	-	1,122
特別損益	7	-589	-	-596
親会社株主に帰属する四半期純利益	-2,825	-2,299	-	525

出所:決算短信よりフィスコ作成

開発費用が先行し、期間業績は損失が続く見通し

2. 2017年12月期以降の業績見通し

2017年12月期の業績は、事業収益で360百万円、営業損失、経常損失、親会社株主に帰属する当期純損失はいずれも3,400百万円と期初計画を据え置いている。事業収益については「ナグラザイム」の売上見込みだけを計画に入れており、第2四半期まではほぼ計画どおりに推移している。一方、費用面ではNF-κBデコイオリゴ(アトピー性皮膚炎治療薬)の臨床試験関連費用がなくなることを主因に、研究開発費が前期の4,188百万円から2,700~2,800百万円まで減少する見込みとなっており、営業損失額もほぼ同額分が縮小する計画となっている。

2018年12月期は、国内で重症虚血肢を対象疾患としたHGF遺伝子治療薬の条件及び期限付承認が下りれば、マイルストーン収入や製品売上の計上が見込まれるが、金額的には研究開発費を中心とした事業費用の方が上回り、損失が続く可能性が高いと弊社では見ている。2019年以降は椎間板性腰痛症を対象疾患としたNF-κBデコイオリゴや高血圧DNAワクチンの開発が順調に進めば、ライセンス契約またはライセンスアウトできる可能性があり、その金額次第では黒字化する可能性もある。

2017年12月期連結業績見通し

(単位:百万円)

	16/12期 実績	17/12期 会社計画	前期比増減額
事業収益	514	360	-154
研究開発費※	4,188	2,750	-1,438
営業利益	-4,763	-3,400	1,363
経常利益	-4,847	-3,400	1,447
親会社株主に帰属する当期純利益	-4,776	-3,400	1,376

※2017年12月期の研究開発費は会社ヒアリングよりフィスコ推計

出所:決算短信よりフィスコ作成

米国での新たな臨床試験実施に向けた新株予約権発行による資金調達を発表

3. 財務状況

2017年12月期第2四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比199百万円増加の4,738百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では現預金が新株予約権の行使により840百万円増加した一方で、前渡金が201百万円、売掛金が167百万円減少した。また、固定資産では保有株式の評価額上昇に伴い、投資有価証券が76百万円増加したが、減損損失の計上等により有形固定資産が75百万円、無形固定資産が55百万円減少した。

一方、負債は前期末比410百万円減少の259百万円となった。主にHGF遺伝子治療薬の国内臨床試験にかかる費用の減少やナグラザイムの仕入費用の支払いにより、買掛金が317百万円減少したほか、未払法人税等が59百万円減少した。また、純資産は前期末比610百万円増加の4,479百万円となった。親会社株主に帰属する四半期純損失2,299百万円を計上したが、新株予約権の行使に伴い資本金及び資本剰余金がそれぞれ1,182百万円増加したほか、その他有価証券評価差額金が552百万円増加した。なお、今回資本金13,465百万円、資本準備金15,961百万円をその他資本剰余金に振り替え、欠損の補てんに充当した。その結果、資本金は5,367百万円、資本剰余金は1,182百万円となっている。

同社は、2017年8月28日付で第三者割当（割当先はリーディング証券）による新株予約権の発行を発表した。当初行使価額の671円（下限行使価額336円）で新株予約権が全て行使されたとすれば、概算で8,066百万円を調達できることになる（発行株数は1,200万株増加し、株式の希薄化率は約15%）。調達した資金は主に米国での重症虚血肢を対象としたHGF遺伝子治療薬の新たな臨床試験の実施において必要となる費用として3,635百万円、残りを事業運転資金に充当する予定となっている。米国におけるHGF遺伝子治療薬の治験計画については、現在策定中で、2017年末から2018年の早い段階で、治験申請及び治験の開始を目指している。

同社では現在の財務状態を鑑みて、開発プロジェクトの絞り込みを行っており、また、開発早期段階（ヒトでのPOC取得段階）でのライセンスアウトを行うことで、開発コストの削減や資金の獲得を図っていく方針を示している。なお、同社は期間損失が続くなかで財務状況も厳しい状況にあることから、2016年12月期の決算短信において、継続企業の前提に関する注記を付している。

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	14/12 期末	15/12 期末	16/12 期末	17/12 期 2Q 末	前期末比
流動資産	7,593	4,242	3,619	3,880	261
(現預金)	6,017	2,074	995	1,836	840
固定資産	589	509	919	858	-61
総資産	8,183	4,751	4,539	4,738	199
負債	449	530	669	259	-410
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産	7,734	4,221	3,869	4,479	610
経営指標					
自己資本比率	93.2%	87.8%	85.0%	94.3%	
有利子負債比率	-	-	-	-	

出所：決算短信よりフィスコ作成

■ 長期ビジョン

遺伝子医薬のグローバルリーダーとなり、 売上高 500 億円以上を目指す

同社は長期ビジョンとして2025年ビジョンを策定している。主な目標として、遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、世界で認知される遺伝子治療・核酸医薬のスペシャリストとなること、治療法のない病気の新薬を実用化すること、売上高で500億円以上を達成することの3つを掲げている。黒字化の時期は現在の開発パイプラインの進捗状況次第となるが、特に、米国での重症虚血肢治療薬の開発に成功した場合には、数十億円規模のマイルストーン収益(既に受領した契約一時金含む)が得られる見通しとなっており、今後の開発動向が注目される。

重要事項（ディスクレーマー）

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。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お願いいたします。

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