

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 >>>](#)

2018年12月27日(木)

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. 主要開発パイプラインの進捗状況 | 01 |
| 2. 直近のトピックス | 01 |
| 3. 業績動向 | 02 |
| ■ 会社概要 | 03 |
| 1. 会社沿革 | 03 |
| 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 (注射投与) | 07 |
| 4. その他開発プロジェクト | 08 |
| ■ 業績動向 | 09 |
| 1. 2018年12月期第3四半期累計業績の概要 | 09 |
| 2. 2018年12月期以降の業績見通し | 10 |
| 3. 財務状況と新株予約権発行について | 10 |
| ■ 長期ビジョン | 12 |

要約

国内で重症虚血肢治療薬の販売承認申請中、 開発パイプライン拡充に向けた投資も積極化していく方針

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おり、将来的に「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目標にしている。ビジネスモデルは、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モデルとなる。

1. 主要開発パイプラインの進捗状況

2018年12月期第3四半期（2018年7月－9月）で、主要開発パイプラインの進捗状況に変化はなかった。2018年11月時点の状況で見ると、国内における重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬は2018年1月に製造販売承認申請を行い、現在は審査が進んでいるもよう。「条件及び期限付承認」を想定しており、承認が得られれば国内初の遺伝子治療薬として、提携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見込みだ。一般的な審査期間で見ると2019年前半までには承認の可否が判明すると見られる。一方、米国では第3相臨床試験に向けて新たな臨床計画を策定中。治験デザインはおおむね国内で実施したものを基本とし、比較的小規模な治験を想定している。また、米国で開発を進めている椎間板性腰痛症治療薬については、2018年2月より第1b相臨床試験を開始しており、オーストラリアで開発を進めている高血圧 DNA ワクチンについても同年4月より第1/2相臨床試験を開始、11月時点で共に大きな支障なく進んでいるもようだ。いずれも2020年以降の治験終了を見込み、安全性と有効性が確認できればライセンスアウト交渉を開始する予定にしている。その他、米 Vical と共同開発を進めている慢性 B 型肝炎治療用ワクチンについては、現在実施している動物実験の結果を見て、今後の方針を決めていくことになる。

2. 直近のトピックス

同社は、2018年11月14日付で DNA ワクチンに関する国内特許を取得したことを発表した。がんの治療または予防を目的とした用途特許となる。DNA ワクチンによって抗 VEGF ※抗体の産生を誘導し腫瘍の血管新生を効果的に抑制、がんを治療または予防する効果が期待されている。現在の抗 VEGF 薬は薬効の半減期が20～30日であり、定期的に投与する必要があるが、DNA ワクチンでは薬効が長期間持続するといったメリットが期待されている。

※ VEGF (血管内皮細胞増殖因子) …血管内皮細胞を増殖させ、血管の形成を促す糖たんぱく質。がん、関節リウマチ、加齢黄斑変性症など異常な血管新生を伴う疾患に対して、この VEGF の働きを阻害する治療薬 (抗 VEGF 薬) が使用されている。

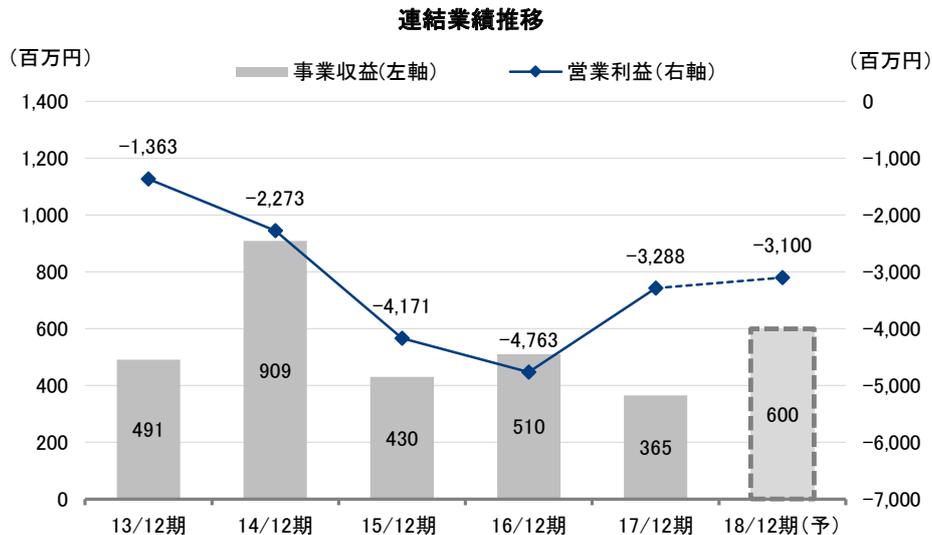
要約

3. 業績動向

2018年10月29日付で2018年12月期第3四半期累計業績を発表した。事業収益はムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の販売増により前年同期比8.2%増の276百万円となり、営業損失は研究開発費の減少で前年同期の2,743百万円から2,242百万円に縮小した。2018年12月期業績については、事業収益で前期比64.3%増の600百万円、営業損失で3,100百万円（前期は3,288百万円の損失）を見込む。2018年12月期第3四半期末の現金及び預金残高は新株予約権の行使が順調に進んだことから、前期末比2,345百万円増加の3,492百万円となった。10月以降も新株予約権の行使が順調に進んでいる。同社では今回の調達資金を、主に開発パイプライン拡充のための投資資金として使っていく予定で、今後4年間で4～5件の開発品目を取り込んでいく。1件当たりの投下資金としては8～10億円を目安としている。

Key Points

- ・ HGF 遺伝子治療薬は国内で承認申請中、椎間板性腰痛症及び高血圧症治療薬の臨床試験を海外で2018年より開始
- ・ 資金調達により、開発パイプラインの拡充を進めていく方針



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、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、代わりに田辺三菱製薬と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きた。2018年1月に国内で製造販売承認申請を行っている。

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月の臨床試験の結果で、主要評価項目においてプラセボ群に対する統計的有意差が得られなかったため、今後の開発方針を検証しているところである。また、自社で椎間板性腰痛症を対象とした臨床試験を2018年2月より米国で開始している。

第3のパイプラインとしてDNA ワクチンの開発に取り組んでいる。高血圧症を対象とした臨床試験を2018年4月よりオーストラリアで開始した。また、開発実績や製造ノウハウを持つ米国のVicalに2016年に追加投資を行うとともに戦略的事業提携を締結している。

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。また、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>と独占的開発・製造・販売権の再許諾契約を締結し、開発の主体が森下仁丹に移っている。直近では2018年7月にカナダのVasomuneと急性呼吸不全治療薬に関する共同開発契約を締結したほか、マイクロバイオーム事業の可能性を探索するためにイスラエルのMyBiotics Pharma マイバイオティクスに資本出資するなど、再び投資を活発化させている。

連結子会社は海外に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。

会社概要

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 |
| 2010年12月 | NF-κB 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 Vical に追加出資 |
| 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 Vical と戦略的提携契約を締結 |
| 2017年 4月 | 米 Vical と慢性 B 型肝炎の治癒を目指した遺伝子治療薬の共同開発契約を締結 |
| 2018年 1月 | 国内で HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）の製造販売承認を申請 |
| 2018年 7月 | カナダの Vasomune と提携し、急性呼吸不全等の治療薬に関する共同開発契約を締結 イスラエルの MyBiotics Pharma と資本提携 |

出所：有価証券報告書、会社資料よりフィスコ作成

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など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、販売についても自社では行わず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、契約一時金及び開発の進捗状況に応じたマイルストーン収入、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するビジネスモデルを主軸としている。このため連結従業員数は、2018年6月末時点で38名と小規模になっている。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。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。

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 遺伝子治療薬については、自社主導で開発と先行投資を行ってきた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。

会社概要

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 遺伝子治療薬は国内で承認申請中、椎間板性腰痛症及び高血圧症治療薬の臨床試験を海外で 2018 年より開始

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 治療ワクチン等がある。各パイプラインの概要と進捗状況、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 | 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 | | | 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 | | | 新たな第3相試験計画を策定中 | | | 大 |
| NF- κ B デコイオリゴ | 椎間板性腰痛症 | 米国 | | | 2018年2月より第1b相試験を開始 | | - | 大 |
| NF- κ B デコイオリゴ (軟膏剤) | アトピー性皮膚炎 | 日本 | 第3相試験で統計的有意差得られず、今後の開発方針を検証中 | | | | 塩野義製薬 (全世界) | 小～中 |
| DNA治療ワクチン | 高血圧症 | 世界 | | | 2018年4月より第1/2相試験を豪州で開始 | | - | 大 |

出所：決算説明会資料、会社資料よりフィスコ作成

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。重症虚血肢の潜在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 0.5～2 万人）と推定されている。

主要パイプラインの開発状況

国内では大阪大学医学部附属病院が主導となり、2014年10月から2017年8月にかけて先進医療B制度を活用した医師主導型臨床研究を実施。2018年1月に承認申請を行った。「条件及び期限付承認」を想定しており、PMDAによる審査期間は9ヶ月間だが、問い合わせやその回答などの時間も含めて考慮すると、結果が出るまでにはおおむね12ヶ月程度かかるものと弊社では想定している。承認されれば販売ライセンス契約先である田辺三菱製薬からマイルストーン収入が入る見通しで、国内で開発された初の遺伝子治療薬として注目度は高まると思われる。

一方、海外で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、同社において試験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新た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と協議を進めていく意向だ。このため、FDAとの協議については国内で製造販売承認を取得してから開始するものと弊社では予想している。日本で承認された治療薬としてFDAと協議を開始した方が、スムーズに進むと考えられるためだ。順調に進めば2019年中にも臨床試験が開始される可能性があるかと弊社では考えている。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、米国での治験開始に目途が立った段階で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がけている。

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）

椎間板性腰痛症の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、椎間板変性に対する進行抑制や修復を促す効果が期待でき、新タイプの腰痛治療薬として2018年2月より米国にて第1b相臨床試験が開始された。

予定症例数は24例で、投与後12ヶ月間にわたり経過を観察し、安全性及び有効性（痛みの緩和など）を確認する治験デザインとなっている。カリフォルニア州立大学サンディエゴ校を中心に複数の医療施設で実施されている。現在のところ特段支障なく進んでいる模様だ。治験期間としては24例目の投与が開始されてから12ヶ月後となるため、2020年以降の終了を目途としている。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だ。椎間板性腰痛症は慢性的な腰痛疾患で、特に中高年層を中心に患者数も多いだけに、今後の開発動向が注目される。

主要パイプラインの開発状況

(2) アトピー性皮膚炎（軟膏剤）

アトピー性皮膚炎（顔面に中等症以上の皮疹を有する患者を対象）を適応症とした第3相臨床試験を国内で2016年まで実施したが、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承認申請を断念、現在は臨床試験のデータを解析し、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 of 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、今後の方針を決定することになっている。

(3) 改良型デコイ「キメラデコイ」

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。

* 核酸医薬の専門誌であるMolecular Therapy-Nucleic Acids（2018年3月発行）に、マウスを使った動物実験での研究論文が掲載された。キメラデコイを気管内に投与した結果、喘息の原因である炎症を引き起こす生体内物質の増加を抑え、気管内の炎症を抑制する効果が確認されたこと等が報告されている。

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。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」で進めていくことになる。現在は、製品の完成度を高めている段階にあり、前臨床試験の開始時期は未定となっている。

3. 高血圧 DNA ワクチン（注射投与）

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。同ワクチンは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。

主要パイプラインの開発状況

同社では2018年4月よりオーストラリアで第1/2相臨床試験を開始している。症例数は24例で観察期間は12ヶ月となり、2020年以降の終了を目途としている。安全性や副作用などの確認だけでなく有効性（血圧の低下等）の確認も行うことになる。現在のところ特段支障なく進んでいる模様だ。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を取得できれば比較的早期に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。

また、高血圧DNAワクチンではイヌの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）※で行われているほか、東京大学医学部附属病院の寄付講座において、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も同研究グループの成果として論文発表されており、開発を進めていく適応疾患が広がる可能性もある。

※ 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。
 なお、DNAワクチンに関しては出資先である米Vicalと戦略的提携契約を2016年に締結している。同社は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米Vicalを最良のパートナーとした。

4. その他開発プロジェクト

(1) 慢性B型肝炎

2017年4月に、米Vicalと慢性B型肝炎の治癒を目指した遺伝子治療薬の共同開発契約を締結し、同社は日本における開発・販売権に関する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おり、同社にとっては有望市場となる。

2017年4月よりマウスを使った共同実験を開始しており、今後良好な結果が得られた場合には米Vicalと協議し、第1/2相臨床試験からライセンス契約交渉に進む可能性がある。仮にライセンス契約が決まった場合、同社は日本エリアを対象とした契約金やロイヤリティ収入など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米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、本製剤の特性及び品質の検証を進めている。2017年12月に発表した中間報告では、動物実験において抗血清を投与した群では、対象群と比較して死亡率や体重の減少が抑制されるという効果が確認されている。今後さらに動物実験を実施し、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していく計画となっている。主に罹患者の治療用や感染リスクの高い医療従事者の携帯用・備蓄用などの緊急対策用の需要を想定している。

業績動向

2018年12月期も研究開発費が先行し、営業損失が続く見通し

1. 2018年12月期第3四半期累計業績の概要

2018年12月期第3四半期累計の連結業績は、事業収益が前年同期比8.2%増の276百万円、営業損失が2,242百万円（前年同期は2,743百万円の損失）、経常損失が2,259百万円（同2,757百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失が2,202百万円（同3,359百万円の損失）となった。

事業収益の増加は、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の売上増によるものとなっている。事業費用の内訳を見ると、売上原価が「ナグラザイム®」の販売増に伴い増加したほか、販管費もコンサルティング費用や東京支社移転に伴う関連費用の増加を中心に前年同期比6.0%増となった。一方で、研究開発費は同24.4%減、金額で532百万円減少した。HGF遺伝子治療薬の旧国際共同第3相臨床試験にかかる費用※が減少したことにより、外注費が368百万円減少したほか、子会社の人員減により人件費が92百万円減少、また、前年同期に計上した従業員に対する株式報酬型ストック・オプションの付与に伴う株式報酬168百万円がなくなったことが減少要因となった。研究開発費の減少により営業損失が縮小し、また、前年同期に特別損失として計上した投資有価証券評価損476百万円、減損損失112百万円がなくなったほか、投資有価証券売却益や新株予約権戻入益など特別利益を64百万円計上したことにより、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1,156百万円の改善となった。

※ 海外で2016年まで実施していた国際共同第3相臨床試験についての費用で、臨床試験は既に終わっているが、その後の施設の閉鎖費用や患者のフォローアップ費用等が残っている。

2018年12月期第3四半期累計業績（連結）

（単位：百万円）

| | 17/12期3Q累計 | 18/12期3Q累計 | 前年同期比増減率 | 前年同期比増減額 |
|----------------------|------------|------------|----------|----------|
| 事業収益 | 255 | 276 | 8.2% | 21 |
| 売上原価 | 124 | 135 | 9.2% | 11 |
| 研究開発費 | 2,182 | 1,649 | -24.4% | -532 |
| 販管費 | 691 | 733 | 6.0% | 41 |
| 営業利益 | -2,743 | -2,242 | - | 501 |
| 経常利益 | -2,757 | -2,259 | - | 497 |
| 特別損益 | -585 | 64 | - | 649 |
| 親会社株主に帰属する 四半期純利益 | -3,359 | -2,202 | - | 1,156 |

出所：決算短信よりフィスコ作成

2. 2018年12月期以降の業績見通し

2018年12月期の事業収益は前期比64.3%増の600百万円、営業損失、経常損失、親会社株主に帰属する当期純損失についてはいずれも3,100百万円となる見通し。事業収益については「ナグラザイム®」の売上が前期比横ばい見込みで変わらないが、新たに同社が保有する非臨床試験データについて海外の製薬企業から譲渡の申し入れがあり、この譲渡分が上乗せ要因となる。一方、営業損失については Vasomune との急性呼吸器不全治療薬の共同開発に伴う契約一時金支払いの発生や、HGF 遺伝子治療薬の国内承認申請にかかる費用の発生など、事業費用が期初計画よりも増加するため、通期では前期比で若干の改善にとどまる見通しとなっている。

なお、2019年12月期の研究開発費の水準については臨床試験の進捗状況にもよるが、現段階では2018年12月期の水準と大きく変わらない見通しだ。

2018年12月期連結業績見通し

(単位：百万円)

| | 17/12 期 | | 18/12 期 | | |
|---------------------|---------|--------|-------------------|------------|------|
| | 実績 | 期初計画 | 修正計画 (2018年8月) | 前期比 増減額 | 修正額 |
| 事業収益 | 365 | 365 | 600 | 234 | 235 |
| 研究開発費※ | 2,600 | 1,900 | 2,700 | 99 | 800 |
| 営業利益 | -3,288 | -2,500 | -3,100 | 188 | -600 |
| 経常利益 | -3,307 | -2,500 | -3,100 | 207 | -600 |
| 親会社株主に帰属する 当期純利益 | -3,764 | -2,500 | -3,100 | 664 | -600 |

※ 2018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

資金調達により、開発パイプラインの拡充を進めていく方針

3. 財務状況と新株予約権発行について

2018年12月期第3四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比2,149百万円増加の6,112百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では新株予約権の行使が進んだことで現金及び預金が2,345百万円増加した一方、原材料の評価替及び廃棄に伴い原材料及び貯蔵品が196百万円減少した。固定資産では保有有価証券の売却及び評価額の下落に伴い投資有価証券が75百万円減少した一方で、東京支社の移転に伴い有形固定資産が48百万円、敷金及び保証金が5百万円それぞれ増加した。

負債合計は前期末比15百万円増加の357百万円となった。買掛金が28百万円減少した一方で、未払費用が41百万円、未払法人税等が16百万円増加した。また、純資産は同2,134百万円増加の5,755百万円となった。親会社株主に帰属する四半期純損失2,202百万円の計上により利益剰余金が減少したほか、保有有価証券の評価額下落に伴いその他有価証券評価差額金が116百万円減少したものの、新株予約権の行使に伴い資本金及び資本剰余金が合わせて4,639百万円増加したことにより吸収した。

業績動向

なお、2018年10月に発行した第33回新株予約権（第三者割当て）の行使も順調に進んでおり、2018年10月以降11月末日まで2,410百万円を調達している。現在の株価水準で行使したとすると残り40億円強を調達できることになる。同社では今回の調達資金を、主に開発パイプライン拡充のための投資資金と、国内HGF遺伝子治療薬の製造販売承認後調査費用に充当していく計画になっている。開発パイプラインの拡充に関しては、今後4年間で4～5件の開発品目をパイプラインに取り込み、1件当たり8～10億円の資金を投下していく予定にしている。2018年7月に急性呼吸不全治療薬の共同開発契約を締結したカナダのVasomuneや、マイクロバイオーム事業の可能性を探索するため資本提携したイスラエルのMyBiotics Pharmaの案件も含まれている。

同社では、現在進めている開発プロジェクトにおいて、早期にライセンスアウトし資金回収を進めていく方針としているが、期間損失が続く財務面でも厳しい状況にあることから、2018年12月期第3四半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。

連結貸借対照表及び経営指標

(単位：百万円)

| | 15/12期 | 16/12期 | 17/12期 | 18/12期3Q | 前期末比 |
|----------|--------|--------|--------|----------|-------|
| 流動資産 | 4,242 | 3,619 | 3,433 | 5,607 | 2,174 |
| （現金及び預金） | 2,074 | 995 | 1,147 | 3,492 | 2,345 |
| 固定資産 | 509 | 919 | 530 | 505 | -24 |
| 総資産 | 4,751 | 4,539 | 3,963 | 6,112 | 2,149 |
| 負債 | 530 | 669 | 341 | 357 | 15 |
| 純資産 | 4,221 | 3,869 | 3,621 | 5,755 | 2,134 |
| 経営指標 | | | | | |
| 自己資本比率 | 87.8% | 85.0% | 85.1% | 93.1% | 8.0pt |

出所：決算短信よりフィスコ作成

第33回第三者割当てによる新株予約権発行に伴う調達資金の使途

| 使途 | 想定金額（百万円） | 支出予定時期 |
|--------------------------|-----------|-------------------|
| 開発品パイプライン拡充 | 5,304 | 2018年10月～2022年10月 |
| 国内におけるHGF遺伝子治療薬の販売後調査の実施 | 1,150 | 2018年10月～2023年10月 |
| 運転資金 | 3,000 | 2018年10月～2020年10月 |

出所：会社発表資料よりフィスコ作成

■ 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いるため、国内での承認審査の結果も含めて今後の動向が注目される。

重要事項（ディスクレマー）

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