

アンジェス MG

4563 東証マザーズ

<https://www.anges-mg.com/ir/index.php>

2016年6月9日（木）

Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

企業調査レポート
執筆 客員アナリスト
佐藤 謙

[企業情報はこちら >>>](#)

注記：

2015年12月期決算短信〔日本基準〕(連結)における継続企業の前提に関する事項について、2016年3月30日時点で、注記を追加することを決議しています。

■ 今年半ばに2つのパイプラインの臨床試験結果が発表される見通し

アンジェス MG<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。現在治験を進めている HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）、NF-κB デコイオリゴ（アトピー性皮膚炎）については自社で先行的に開発投資を進めている分、ロイヤリティの料率が一般的な水準よりも高く設定されている。

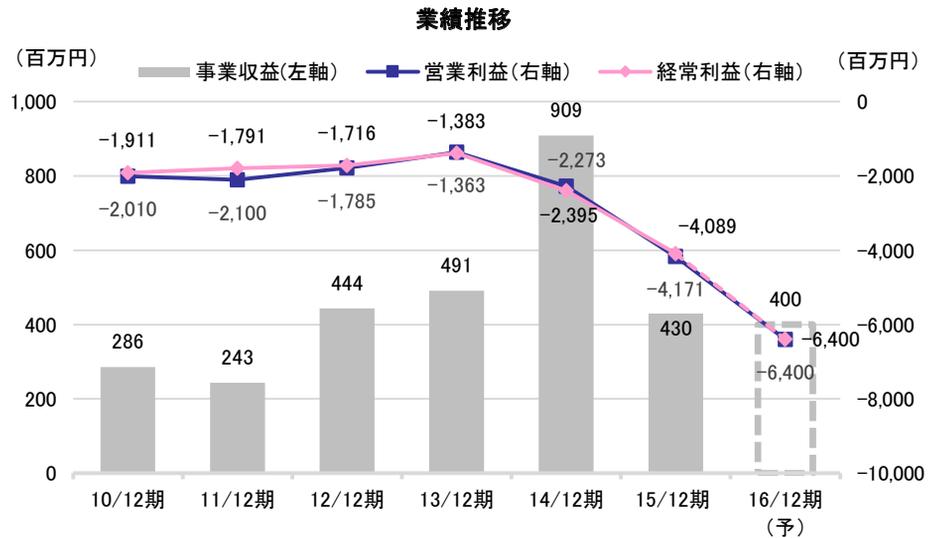
当第1四半期の開発パイプラインの進捗状況は、NF-κB（エヌ・エフ・カッパ・ビー）デコイオリゴ（アトピー性皮膚炎治療薬）の第3相臨床試験が2月に終了し、また、3月には国内の HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢向け）の医師主導型臨床研究において2症例目の投与が開始された。第2四半期には、NF-κB デコイオリゴを薬剤とする2つのパイプライン（アトピー性皮膚炎治療薬、薬剤塗布型バルーンカテーテル）の臨床試験結果が発表される見通しで、結果が良ければ年内にも製造販売承認申請を行う予定だ。また、国内の HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢向け）についても残り4症例の投与を早期に開始し、早ければ年内に条件及び期限付き承認制度を活用した承認申請を目指している。なお、2016年4月に DNA ワクチン技術を用いたエボラ出血熱抗血清開発でカナダのサスカチュワン大学と提携し、共同で開発を進めていくと発表している。

2016年12月期の業績は、グローバル臨床試験費用を中心に研究開発費が前期比約2,000百万円増の5,500百万円規模とピークを迎えることから、営業損失は前期の4,171百万円から6,400百万円とさらに拡大する見込みとなっている。2017年以降は研究開発費用が減少に転じるため営業損失も縮小するが、黒字化の時期は HGF 遺伝子治療薬のグローバル治験が順調に進み、米国で承認申請する2019年頃となる見通しだ。このため、当面は開発資金の調達を経営課題となる。2016年4月に第三者割当による新株予約権を発行し、約30億円の調達に成功したが、3月末の現預金が約8億円であることからすると、今期中に再度何らかの資金調達が必要となり、株式価値の希薄化が生じるリスクがあることには留意する必要がある。

重症虚血肢治療薬が開発されれば、米国ではその市場規模は約50億ドルになると予想されている。同社は米国及び国内市場で田辺三菱製薬<4508>と独占的販売権許諾契約を締結しており、既に受領した契約一時金とマイルストーン収益を合わせて100億円程度の収益を得られる見通しとなっている。

■ Check Point

- ・アトピー性皮膚炎治療薬および薬剤塗布型バルーンカテーテルの臨床試験結果は今年半ばに判明予定
- ・様々な資金調達方法の中から慎重に検討を進めながら調達していく方針
- ・2025年ビジョンを策定、主な目標は売上高500億円以上を達成



■ 会社概要

遺伝子治療薬、核酸医薬、DNA ワクチンなどの研究開発に特化

(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。創業者であり、当時同大学医学部の助教授であった森下竜一(もりしたりゅういち)氏(現 大阪大学大学院 医学研究科 臨床遺伝子治療学講座 教授)らの研究チームが、1995年にHGF 遺伝子(肝細胞増殖因子)の投与による血管新生作用を発見し、この研究成果を事業化することを目的に設立された。

2001年にHGF 遺伝子治療薬について第一製薬(株)(現 第一三共<4568>)と独占的販売権許諾契約を結び、2008年に重症虚血肢を有する閉塞性動脈硬化症及びバージャー病を適応症とした製造販売承認申請を行った。ただ、2010年にPMDAより更なる追加データが必要との見解を得て、申請を一旦取り下げている。現在は国内において6例の患者を対象とした医師主導の臨床研究が実施されており、2014年秋に施行された早期承認の制度の下で再度承認申請を行うべく取り組みを進めている。また、2014年10月からはグローバル臨床試験も開始している。なお、第一三共との提携関係は解消しており、代わりに田辺三菱製薬と2012年に米国市場、2015年に国内市場を対象とした独占的販売権許諾契約を締結している。

もう一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)の治療薬として治験が進んでいる。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年に共同開発契約が終了。2010年に塩野義製薬<4507>と独占販売権許諾契約を締結している。2016年2月に国内で第3相臨床試験が完了している。また、2012年よりメディキットとNF- κ B デコイオリゴを薬剤とした薬剤塗布型バルーンカテーテルの共同開発も進めており、2015年9月に臨床試験が終了している。いずれも良好な試験結果が得られた場合には、国内での製造販売承認申請を行う予定となっている。



アンジェス MG

4563 東証マザーズ

<https://www.anges-mg.com/ir/index.php>

2016年6月9日（木）

このほか、2006年には希少疾病であるムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の国内での販売権を米バイオマリン ファーマシューティカル社（以下、バイオマリン社）から取得し、2008年より販売を開始したほか、2013年には韓国バイオリーダース社と子宮頸部前がん（CIN）治療ワクチンの国内外における開発製造、販売の独占の実施許諾契約を締結し、現在は国内で医師主導臨床研究が行われている。

なお、連結子会社は3社あり、米国の子会社はHGF 遺伝子治療薬の開発拠点として、イギリスの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を行っている。

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
2000年8月	HVJ-E 非ウイルス性ベクターの製造・販売に関し、石原産業（株）と提携
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7月	治療用及び診断用遺伝子の発見・創薬を目的として、大阪府豊中市にジェノメディア（株）を設立（2013年に石原産業に譲渡）
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社と提携
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- 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1月	メディキット（株）と薬剤塗布型 PTA バルーンカテーテルの国内での共同開発及び独占的製造販売契約を締結
2012年10月	田辺三菱製薬（株）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・バイオリーダース社と子宮頸部前がん治療ワクチンの国内外における開発製造、販売の独占の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Ⅲ相臨床試験開始
2015年6月	田辺三菱製薬（株）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

(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、自社開発品だけではなく、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も行っている。

また、同社は開発に特化した会社で、原薬の製造や治験の実施等については外部の専門機関に委託、「ナグラザイム」を除き販売についても開発品や地域ごとに大手製薬メーカーと販売権許諾契約を締結しており、上市後も自社販売は行わないことを基本戦略としている。このため連結従業員数は2015年12月末時点で64名と小規模となっている。現在、商品として販売しているものはバイオマリン社から導入している「ナグラザイム」のみであり、自社開発品の上市実績はない。

同社のビジネスモデルは、遺伝子医薬の開発を行い、開発の課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ってくるが、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おり、臨床試験の結果が良ければ、その後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。

同社は現在開発ステージのため、収益も赤字が続いているが、開発品が上市されれば黒字化も視野に入ってくることになる。特に主要開発パイプラインである HGF 遺伝子治療薬や NF-κB 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、ロイヤリティの条件も一般的な水準よりも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抜粋

■ 主要パイプラインの開発状況

NF-κB デコイオリゴの2つの開発品は試験結果が良好であれば年内に製造販売承認申請へ

同社の主要開発パイプラインは、自社開発品である HGF 遺伝子治療薬と NF-κB デコイオリゴ、他社導入開発品となる CIN 治療ワクチンなどがあり、開発状況は以下のとおりとなっている。

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	2016	2017	2018	2019	販売提携先
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)
		欧州・米国	グローバル第3相			米国で承認申請、承認、欧州で承認申請		
	リンパ浮腫	日本		第1/2相(原発性)	次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等			-
NF-κB デコイオリゴ (軟膏剤)	アトピー性 皮膚炎	日本		第3相	承認申請	承認、上市		塩野義製薬(全世界)
NF-κB デコイオリゴ (薬剤塗布型ハルンカテーテル)	血管再狭窄	日本	臨床試験		承認申請	承認、上市		メディキット(日本)
NF-κB デコイオリゴ	椎間板性 腰痛症	米国			第1/2相 カリフォルニア大学で実施	次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等		-
CIN治療ワクチン	子宮頸がん 前がん病変	日本	医師主導臨床研究	次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等				-

出所：決算説明資料より作成

(1) HGF 遺伝子治療薬

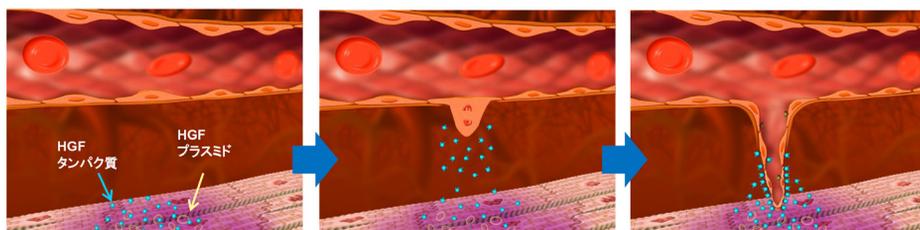
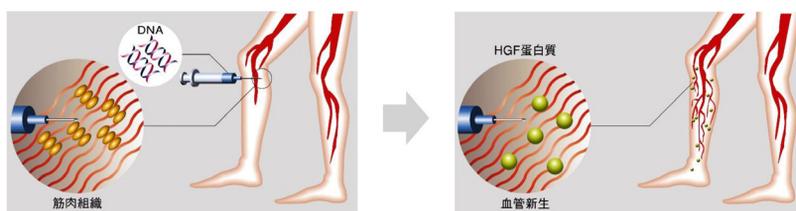
○重症虚血肢向け

HGF 遺伝子の血管新生作用の効果を活用して、重症虚血肢とリンパ浮腫向けの治験が実施されている。同社の開発パイプラインの中で最も注目されているのが、重症虚血肢向けのプロジェクトとなる。重症虚血肢の患者数は米国だけで推定 50 万人とみられており、このうち血管内治療や外科的バイパス手術など既存の治療法の適応とならない、またはリスクの高い患者に対して有効な治療法が開発された場合に創出される市場規模は約 50 億ドルと推計されているためだ。

重症虚血肢とは重症の末梢性血管疾患を指し、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状態を指す。HGF 遺伝子治療薬を血管が詰まっている部分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。

注射による HGF 遺伝子治療（末梢性血管疾患）

HGFの血管新生作用により虚血部位の血流を回復させる



出所：会社資料

国内では大阪大学医学部附属病院が主導となり、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おり（2014年10月に1例目、2016年3月に2例目の投与開始）、6例のデータを持って条件及び期限付承認制度を活用した承認申請を早ければ2016年内に行うことを目標としている。治験デザインとしては1ヶ月ごとに2回投与し、2ヶ月の観察期間を設けており、主要評価項目として痛み、潰瘍の改善を挙げている。承認申請の時期は臨床研究の進捗の影響を受ける。現在は残り4症例の実施に向けて、6ヶ所の医療施設で被験者のスクリーニングを進めている段階にある。症例数が少ないことや、今回はデータの再現性を確認するものであることから、観察期間を終えて結果が良好であれば、承認申請を行うまでの時間は通常よりも短期間で済むと考えられる。ただ、1例目から2例目の投与開始まで1年半程度かかるなど、スクリーニングの条件に合致する被験者が見つかりにくいことから、スケジュールが伸びる可能性もある。



アンジェス MG

4563 東証マザーズ

<https://www.anges-mg.com/ir/index.php>

2016年6月9日（木）

※ POC (Proof of Concept) : 基礎的な発見が実際の臨床試験でも起こることを検討し、治療コンセプトの正しさを確認すること

一方、海外では第3相のグローバル臨床試験を2014年10月からスタートしている。症例数約500例を欧米、アルゼンチンの100施設以上の医療施設で実施し、まずは2019年頃に米国、その後欧州で承認申請を行う予定となっている。治験施設の開設スピードが当初の想定よりもやや遅れ気味ではあるものの対象施設数の半分以上まで進んでおり、症例数も着実に積み上がっているもようだ。治験デザインとしては、2週間に1回の投与を4回繰り返すのを1クールとし、合計4クールを行い、観察期間は投与開始から18ヶ月となっている。また、主要評価項目は下肢の切断・死亡に至るまでの期間となっている。

販売提携先は田辺三菱製薬で、日本と米国における販売権許諾契約を締結している。また、欧州エリアについては現在、販売提携先を探索中となっている。

○原発性リンパ浮腫向け

原発性リンパ浮腫向けに関しても HGF 遺伝子治療薬の投与により、「リンパ管の新生」作用が動物実験において確認されたことから、2013年10月より POC※の確認を目的に第1/2相の臨床試験を開始している。症例数は約20症例で、観察期間は投与開始から1年間となり、浮腫の体積変化や QOL（生活の質）等を経時的に評価する。2016年4月までに最後の症例登録が完了しており、2017年4月には臨床試験が終了する見込みだ。POCが確認できれば、次の開発ステージ（更なる臨床試験の実施やライセンス契約等）に移ることになる。リンパ浮腫の遺伝子治療薬としては世界初の臨床試験となり、開発意義の高さから費用の一部は NEDO（新エネルギー・産業技術総合開発機構）の補助金が充てられている。

リンパ浮腫とは、リンパ管の障害によりリンパ流が停滞することで手足等が高度に腫れる疾患のことで、日本における推定潜在患者数は原発性リンパ浮腫で約3,000人、二次性リンパ浮腫で10万人以上とみられる。二次性リンパ浮腫に関しては、子宮がんや乳がん術後の発生率が高く、最近では加齢によるリンパ浮腫も増える傾向にある。治療法は理学療法（弾性着衣、リンパマッサージ等）、薬物治療、手術などがあるが根治療法はいまだなく、HGF 遺伝子治療薬がその候補として期待されている。

(2) NF- κ B デコイオリゴ（核酸医薬）

NF- κ B デコイオリゴ核酸は、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- κ B」に対する特異的な阻害剤となる。この NF- κ B デコイオリゴ核酸による治療法は、1995年に同社の創業者である森下竜一氏により発明された。主に NF- κ B 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。

○アトピー性皮膚炎（軟膏剤）

対象疾患の中で最も開発が進んでいるのがアトピー性皮膚炎治療薬となる。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、2015年3月より約200例のアトピー性皮膚炎患者を対象とした第3相の臨床試験を国内で開始し、2016年2月に最後の症例の観察期間が終了している。現在は治験データの収集を行っている段階で、順調に進めば2016年6月中に結果が発表される予定となっている。良好な結果が得られれば、2016年内の承認申請を予定している。現在、アトピー性皮膚炎の治療薬としてはステロイド剤などがあるが、副作用への懸念があることから、NF- κ B デコイオリゴが承認されれば十分市場を開拓できる可能性がある。国内で好結果が出れば、さらに市場規模が大きい海外への展開も視野に入ってくる。

○血管再狭窄予防（薬剤塗布型バルーンカテーテル）

メディキットと共同開発を進めてきた薬剤塗布型バルーンカテーテルの臨床試験は、既に最後の登録患者の観察期間を終えており、現在は各患者のデータ回収・解析作業を行っている段階にある。2016年6月末までに結果が発表される予定となっている。結果が良好であればメディキットが2016年内に承認申請を行う予定で、2017年中の承認取得が期待される。透析シャント静脈狭窄を対象疾患としているため、国内での市場規模としては小さいが、今後は市場規模の大きい欧米市場への展開や適応疾患の拡大も視野に入れている。なお、薬剤塗布型バルーンカテーテルは従来も抗がん剤を使ったものが販売されているが副作用への懸念があり、同社開発品が承認されれば市場シェアを獲得する可能性は十分であると弊社では見ている。

共同開発した製品は、バルーンの外表面に抗炎症作用を持つNF- κ B デコイオリゴ DNA を塗布することで、バルーン拡張によって引き起こされる血管炎症の抑制、血管の再狭窄までの期間延長、及び外科的手術の回避といった効果が期待されている。

○椎間板性腰痛症（注射投与）

椎間板性腰痛症を含む腰痛疾患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しいタイプの腰痛治療薬として注目されている。2013年3月に国内で日本臓器製薬（株）と独占的開発販売権許諾契約を締結したが、2014年12月に相手先の開発方針の変更により契約を解消している。このため、開発に関しては今後、米国で行っていくこととした。米国での椎間板性腰痛症の患者数が多いことや、本薬の治療に必要な手技に精通した医師が多いこと、標準的な治療方針に本薬のような椎間板変性を抑制する薬剤が適合するなど、市場を開拓していくうえでの環境面で適していると判断したためだ。

椎間板変性などを原因とする腰痛症に対する治療薬は、現在のところ消炎鎮痛剤などを用いる対処療法しかないため、NF- κ B デコイオリゴの開発動向が注目される。現在は、米カリフォルニア大学にて第1/2相臨床試験の準備を進めている段階にある。

(3) 子宮頸部前がん病変治療ワクチン（CIN 治療ワクチン）

韓国のバイオリーダース社から導入したCIN治療ワクチンは、子宮頸がん前がん状態の組織を退縮させ、子宮頸がんへの移行、円錐切除手術を回避する効果が期待される乳酸菌L.caseiをベースとした経口剤となる。子宮頸がん予防ワクチンとの違いは、予防ワクチンが子宮頸がんの原因ウィルスであるヒトパピローマウィルス（HPV）未感染者を投与対象者としているのに対して、CIN治療ワクチンは既に子宮頸がん前がん病変であるCIN2/3ステージ（中程度～高程度異形成、上皮内がん）の患者を投与対象とした治療薬ということにある。CIN2/3ステージの全世界の推定年間罹患者数は約1,000万人とも言われており、潜在市場規模は大きい。

現在は東京大学医学部附属病院にて、医師主導型の探索的臨床研究を実施している。これまでの発表結果（2014年9月リリース）では、CIN3を対象とした試験において、投与した17症例において有害事象の発生がなく、適用量を服用した被験者の70%で前がん病変の明らかな退縮（投与開始後9週目）が確認されている。同附属病院ではさらにCIN2を対象として40症例の試験を実施中であり（厚生労働省からの補助金を活用）、結果を待って次の開発ステージへの移行を検討していく考えだ。

(4) DNA ワクチンによるエボラ出血熱抗血清製剤

同社は DNA ワクチン技術を応用したエボラ出血熱抗血清製剤の開発を進めているが、2016年4月にワクチンと感染症の研究開発で世界でも有数の施設を持つカナダのサスカチュワン大学との提携を発表した。提携の内容は、共同で抗血清剤の特性、製造及び品質向上の検討を進めていくというもの。同社が開発を進める抗血清製剤は、エボラ出血熱ウィルスのタンパク質をコードする 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製造する治療薬となる。

日本国内ではエボラウイルスに対する抗血清の効果や品質を検討する施設がなく、開発を進めていくうえで海外の施設を利用する必要があり今回の提携に至った。エボラウイルスに関する治療薬は一部試験的に利用されている治療薬はあるものの、正式に承認されたものはまだなく、同社でも今後、同大学と共同で開発を進めていくこととなる。ただ、同社の業績面において大きなインパクトはなく、開発費に関してもほとんど掛からないようだ。

■業績動向

国内で3つのパイプライン承認申請費用を見込み、損失拡大の見通し

(1) 2016年12月期第1四半期業績の概要

4月25日付で発表された2016年12月期第1四半期の連結業績は、事業収益が前年同期比1.6%増の83百万円、営業損失が1,183百万円（前年同期は960百万円の損失）、経常損失が1,230百万円（同880百万円の損失）、四半期純損失が1,230百万円（同883百万円の損失）となった。

2016年12月期第1四半期連結業績

（単位：百万円）

	15/12期1Q	16/12期1Q		
	実績	実績	前年同期比	増減額
事業収益	81	83	+1.6%	+1
事業費用	1,042	1,267	+21.5%	+224
売上原価	36	42	+16.4%	+5
研究開発費	760	991	+30.4%	+230
販管費	246	233	-5.0%	-12
営業損益	-960	-1,183	-	-223
経常損益	-880	-1,230	-	-350
四半期純利益	-883	-1,230	-	-346

事業収益の内訳を見ると、研究開発事業収益が前年同期比6百万円減少した一方で、「ナグラザイム」の売上高が同7百万円増の81百万円と増加した。対象患者の成長とともに投与量が増えていることが増収要因となっている。

事業費用の内訳を見ると、売上原価は「ナグラザイム」の売上増に伴い、前年同期比で5百万円増加した。研究開発費は前年同期比で230百万円の増加となった。NF-κB デモイオリゴ（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を中心に外注費が148百万円増加したことが主因となっている。また、HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢向け）のグローバル臨床試験にかかる費用増により、研究用材料費も20百万円増加した。一方、販管費は経費の抑制等を進めたことにより前年同期比で12百万円の減少となった。

2016年6月9日（木）

(2) 2016年12月期業績見通し

2016年12月通期の連結業績は、事業収益が前期比7.0%減の400百万円、営業損失、経常損失、当期純損失がいずれも6,400百万円と前期から拡大する見通しとなっている。事業収益については、「ナグラザイム」が増加するものの、研究開発事業収益の減少により減収となる見通し。営業損失が拡大するのは、研究開発費が前期比1,967百万円増の5,500百万円とさらに拡大するためだ。HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢向け）のグローバル臨床試験費用の増加と、国内で3つのパイプラインの承認申請に向けた費用を見込んでいることが増加要因となる。ただ、研究開発費のピークは2016年12月期となりそうで、2017年12月期以降は減少に転じる見込みとなっている。

2015年12月期連結業績と2016年12月期計画

（単位：百万円）

	15/12期	16/12期		
	実績	会社計画	前期比	増減額
事業収益	430	400	-7.0%	-30
研究開発費	3,532	5,500	55.7%	1,967
営業損益	-4,171	-6,400	-	-2,228
経常損益	-4,089	-6,400	-	-2,310
当期純利益	-4,143	-6,400	-	-2,256

なお、2016年内に国内で承認申請を目指しているHGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢治療薬）、NF-κB デコイオリゴ（アトピー性皮膚炎治療薬）、薬剤塗布型バルーンカテーテルについてはいずれもマイルストーンや売上による収益への貢献は早くも2017年以降となる。承認申請から取得までの期間は、条件及び期限付き承認制度を活用するHGF 遺伝子治療薬については前例から判断すると1年以内が想定され、その他2品目については1年程度かかる見通しだ。

様々な資金調達方法の中から慎重に検討を進めながら調達していく方針

(3) 財務状況

2016年3月末の財務状況を見ると、総資産は前期末比984百万円減少の3,767百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では、当期事業費用への充実に伴い現預金が1,212百万円減少した一方で、アトピー性皮膚炎治療薬等の臨床試験にかかる費用の前払いにより前渡金が170百万円増加した。また、固定資産では研究開発用機器の購入に伴い有形固定資産が29百万円増加したほか、保有株式の評価額上昇に伴い投資有価証券が36百万円増加している。

一方、負債合計は前期末比250百万円増加の781百万円となった。主に「ナグラザイム」の購入に伴い買掛金が190百万円増加した。また、純資産は前期末比1,235百万円減少の2,985百万円となった。四半期純損失の計上に伴い利益剰余金が減少した。

同社は今後の事業活動資金の充足を目的に、2016年4月に第三者割当による新株予約権を発行した。発行後に株価が大きく上昇したこともあり、新株予約権は4月中に100%行使されている。新株予約権の行使にともなって、発行株式数は従来から約11%増加（643.67万株増加）し、3,057百万円が資本に充当されたことになる。ただ、今回の調達額を含めても2016年12月期の事業活動資金は不足する見通しであり、再度、資金調達を実施する必要がある。同社では様々な資金調達方法の中から、慎重に検討を進めながら調達していく方針だ。同社ではこうした財務状況を踏まえ、2015年12月期の有価証券報告書にて、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）

	13/12期	14/12期	15/12期	16/12期 1Q	増減額
流動資産	3,304	7,593	4,242	3,195	-1,046
（現預金）	1,795	6,017	2,074	861	-1,212
固定資産	599	589	509	571	62
総資産	3,904	8,183	4,751	3,767	-984
負債合計	360	449	530	781	250
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産合計	3,543	7,734	4,221	2,985	-1,235

長期ビジョン
2025年ビジョンを策定、主な目標は売上高 500 億円以上を達成

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。主な目標は、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。黒字化の時期としては、2019 年を目標としている。黒字化要因としては、重症虚血肢治療薬の国内での販売と、グローバル開発の進捗に伴うマイルストーン収入の獲得、アトピー性皮膚炎治療薬の国内販売等が挙げられる。また、ライセンス活動も強化していく方針で、重症虚血肢治療薬の欧州、アジア市場における販売権契約や原発性リンパ浮腫治療薬、CIN 治療ワクチンの契約締結に向けた取り組みを進めていく。

なお、米国で重症虚血肢治療薬の開発に成功した場合は、既に受領した契約一時金のほか、米国での開発成功によるマイルストーン収益を受け取ることになり、合計で 100 億円程度が見込まれている。同治療薬は国内で先行して条件及び期限付承認制度を活用した承認申請を行う予定で、その動向が試金石となる。同制度を活用すれば、申請後 1 年以内に承認の可否が判明するとみられるが、同社の場合は過去に一度承認申請を行っており、PMDA より有効性は認められたものの、症例数不足を理由に取り下げた経緯がある。このため、現在実施している医師主導型臨床研究による追加データに問題なければ比較的短期間で承認が下りる可能性もある。国内で承認申請が提出されれば、米国での承認取得への期待も高まることとなり、同社の企業価値についても見直される可能性がある。

ディスクレーマー（免責条項）

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・加工することは強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・譲渡することは強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