

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 >>>](#)

2019年6月18日(火)

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. 重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の状況について	01
2. その他開発パイプラインの動向	01
3. 業績動向	01
4. 財務状況	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
■ 主要開発パイプラインの動向	05
1. HGF 遺伝子治療薬	06
2. NF- κ B デコイオリゴ	07
3. 高血圧 DNA ワクチン	08
4. その他開発プロジェクト	08
■ 業績動向	09
1. 2019年12月期第1四半期の業績概要	09
2. 2019年12月期の業績見通し	10
3. 財務状況と新株予約権発行について	11
■ 長期ビジョン	12

■ 要約

重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の販売開始に向けた対応を進める

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。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。

1. 重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の状況について

主力パイプラインである HGF 遺伝子治療薬は、2019年3月に「標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能として条件及び期限付製造販売承認を取得したことで販売開始に向けた対応を進めてきたが、販売準備に時間を要しているため販売開始時期を延期することとし、継続して早期の販売開始に向けた対応に取り組んでいくとの発表をしている。

2. その他開発パイプラインの動向

その他のパイプラインについて見ると、椎間板性腰痛症治療薬は米国で第1b相臨床試験を、高血圧 DNA ワクチンはオーストラリアで第1/2相臨床試験をそれぞれ進めている。いずれも終了見込みは2020年以降となり、安全性と有効性が確認されればライセンスアウト交渉を開始する予定にしている。その他カナダのサスカチュワン大学と共同で進めていたエボラ出血熱抗血清製剤の開発については、動物実験でウイルス感染による死亡を阻止することが確認されたことを発表しており、今後臨床試験の実現を目指して更なる前臨床試験を進めていく方針と明らかにしている。

3. 業績動向

2019年12月期第1四半期（2019年1月～3月）の事業収益は前年同期比2.4%増の75百万円、営業損失は918百万円（前年同期は590百万円の損失）となった。ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」を中心に事業収益は堅調に推移したものの、研究開発費が前年同期比291百万円増加したことにより、営業損失が拡大した。

通期業績見通しについては、事業収益で前期比45.1%減の335百万円、営業損失で2,800百万円（前期は3,065百万円の損失）と期初計画を据え置いた。HGF 遺伝子治療薬の販売パートナーである田辺三菱製薬 <4508> からマイルストーン収入や販売ロイヤリティ収入が見込まれるものの、米バイオマリンファーマシューティカル（以下、BioMarin）との「ナグラザイム®」の販売契約が2019年3月末に終了したことに伴い同商品の販売が減少するほか、前期に計上した研究開発収入がなくなることで減収要因となる模様だ。また、費用面では HGF 遺伝子治療薬の国内における市販後調査費用等の発生で販管費が増加するものの、研究開発費の減少を主因として営業損失は縮小する見通しだ。

要約

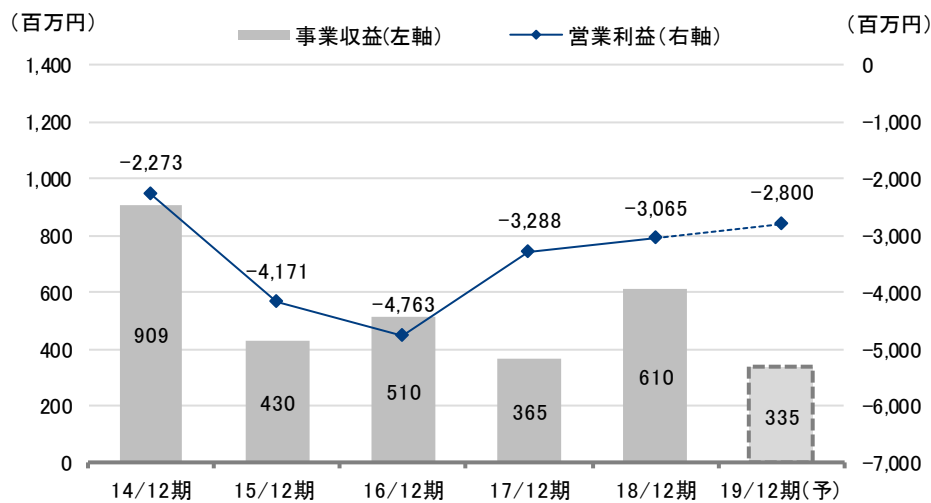
4. 財務状況

2019年12月期第1四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3,706百万円増加の9,491百万円となった。4月に1,206百万円、5月に1,641百万円で行使され、すべての行使が完了した。業績が計画通り進捗し大きな投資がなければ2019年12月期末で100億円程度の現金及び預金が残る計算となり、当面の事業資金を賄えるだけの水準となると同社では考えている。今回調達する資金は、開発パイプライン拡充(53億円)やHGF遺伝子治療薬の市販後調査(11.5億)等に充当する予定にしている。なお、同社は国内でHGF遺伝子治療薬の条件及び期限付製造販売承認を取得したことを受けて、2018年12月期の有価証券報告書において、「継続企業の前提に関する注記」の記載を解消している。

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 遺伝子治療薬が国内で条件・期限付販売承認を取得
- ・ 新株予約権の行使により調達した資金で、開発パイプラインの拡充を進めていく方針

連結業績推移



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い、2019年3月に条件及び期限付製造販売承認を取得、現在販売開始に向けた対応を進めている段階にある。

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おり、2018年4月より高血圧症を対象とした臨床試験をオーストラリアで開始している。

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、BioMarinから2006年に取得し、2008年より販売を開始している（2019年3月で契約終了）。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 Therapeutics Inc.（以下、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に資本出資するなど、再び投資を活発化させている。

※ 森下仁丹は2019年4月に、開発販売実施権の一部をプロバイオティクス（ビフィズス菌や乳酸菌等）利用医薬品の開発で実績を持つ創業ベンチャーのGLOWACC（株）に再許諾している。また、日本大学医学部において子宮頸がんを対象とした医師主導治験準備の最終段階に入っている。

会社概要

連結子会社は海外に2社あるが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 型肝炎の治療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
2019年 3月	重症虚血肢を対象とした HGF 遺伝子治療薬の国内条件及び期限付承認を取得 米国の Emendo Biotherapeutics へ出資

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12月末時点で36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、BioMarin から導入している「ナグラザイム®」のみ（2019年3月末日にて契約終了。現在は在庫の販売を継続）で、自社開発品の上市実績はまだない。

会社概要

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。

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

■ 主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療薬が国内で条件及び期限付販売承認を取得

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	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		2019年2月に条件及び期限付製造販売の承認が了承される	田辺三菱製薬 (日本、米国)	中～大
		米国		新たな試験計画を策定中		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相試験を実施中		-	大
DNA 治療ワクチン	高血圧症	世界	2018年4月より第1/2相試験を豪州で実施中		-	大

出所：決算説明資料及び会社資料よりフィスコ作成

1. HGF 遺伝子治療薬

HGF 遺伝子治療薬は、血管新生作用の効果を活用して重症虚血肢の症状を緩和することを目的に開発が進められてきた。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 万人と推定されている。

国内では 2019 年 3 月に、「標準的な薬物治療の効果が不十分で、血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能、効果または性能として、条件及び期限付販売承認を取得し※、田辺三菱製薬が担当することとなる販売の開始に向けた対応を進めてきたが、販売準備に時間を要しており、販売開始時期を延期することを同年 5 月に発表している。現在引き続き早期の販売開始に向けた対応を進めている状況にある。

※ 本承認の条件は、承認日から 5 年以内に、1) 重症化した慢性動脈閉塞症に関する十分な知識・治療経験を持つ医師のもとで、創傷管理を複数診療科で連携して実施している施設で本品を使用すること、2) 条件及び期限付き承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと、の 2 項となる。

また、2019 年 2 月にはイスラエルの Kamada とイスラエルを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書を締結しており、今後、イスラエルでも当局からの販売承認が得られ次第、Kamada を通じて販売を開始することになる。イスラエルでは日本などの先進国で薬事承認された医療用医薬品については、同国での追加臨床試験を行うことなく承認される可能性が高く、早ければ 2020 年の発売を見込んでいる。今回の基本合意により、イスラエルで薬事承認及び保険償還が承認された場合に、同社は一時金として最大 125 万ドルを受領し、また発売後の累積売上及び年間売上に応じた一時金として最大 285 万ドル及び製品供給による売上を得ることになる。さらに今回は、Kamada の主力製品である α -1 アンチトリプシン (AAT) 製剤「Glassia®」※の国内での製造販売権を同社に導出するために誠実に協議することに合意した。

※ 日本で難病指定となっている α 1-アンチトリプシン (AAT) 欠乏症の進行を抑える医薬品。AAT 欠乏症になると、若年性に慢性閉塞性肺疾患 (Chronic Obstructive Pulmonary Disease : COPD) を発症する。主な症状は、労作時呼吸困難、慢性的な咳嗽・喀痰で、症状が進行すると酸素吸入、人工呼吸管理が必要となる。

米国での臨床試験開始に向けた FDA との協議については、準備が整い次第開始する意向だが、その時期に関しては未定としている。当面は国内での販売開始を最優先に、田辺三菱製薬と連絡を密にして進めていく方針。このため、米国での臨床試験開始のタイミングは 2020 年以降になる可能性が高いと弊社では考えている。なお、米国では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っており、同社において試験計画を策定している段階だが、米国での臨床試験も主要評価項目を国内で承認された「潰瘍の改善」として FDA と協議を進めていくものと見られ、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掛けている。

2. NF- κ B デコイオリゴ

NF- κ B 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- κ B」に対する特異的な阻害剤となる。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。

(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される。新タイプの腰痛治療薬として 2018 年 2 月より米国で第 1b 相臨床試験を開始している。

予定症例数は 24 例で、椎間板性腰痛症患者を対象としたプラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験となる。投与後 12 ヶ月間の経過観察を行い、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で、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、当初の計画より若干遅れがあるものの、特段の支障もなく被験者の登録が進んでいるもようだ。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となっている。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く、市場規模が大きいだけに今後の開発動向が注目される。

(2) 次世代型「キメラデコイ」

同社は 2016 年 7 月に、次世代型「キメラデコイ」の基盤技術の開発を完了し、製品開発を進めている。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、炎症抑制効果も格段に高まることが期待されている。実際、動物実験では 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確認されている※。また、次世代型「キメラデコイ」は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っている。

※ 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で、前臨床試験の開始時期は未定となっている。

長期間の薬効が期待される高血圧 DNA ワクチンは、 潜在市場が大きく注目度が高い

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。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が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。

同社は 2018 年 4 月よりオーストラリアで第 1/2 相臨床試験を実施中であり、予定症例数は 24 例で高血圧症患者を対象としたプラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験を行っている。観察期間は 12 ヶ月で、現在のところ特段の支障もなく計画どおりに被験者登録が進んでおり、2020 年以降の終了を目標としている。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）の確認も行っている。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、今後、開発を進める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) 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開発を進めている。

主要開発パイプラインの動向

2019年4月には、動物実験で良好な試験結果が得られたことを発表している。具体的には、サスカチュワン大学の研究施設において、当抗血清から精製した抗体を用いた動物による感染実験（動物にエボラウイルスを接種した後に、当抗体を投与）を実施したところ、ウイルス感染による死亡を阻止することが確認された。この結果により、当抗血清が治療薬として十分機能することが再確認されたとしている。今後については、臨床試験を実現するために必要となるデータ等の蓄積を行うため、専門医等とも協議しながら前臨床試験を継続して進めていく予定となっており、最終的にはライセンスアウトすることを基本に考えている。同ワクチンについては、主に罹患者の治療用や感染リスクの高い医療従事者の予防用、パンデミック時の備蓄用などの需要を想定している。

(2) 慢性 B 型肝炎

2017年4月に、米 Vical と慢性 B 型肝炎を対象とした遺伝子治療薬の共同開発契約を締結し、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。

(3) Vasomune との共同開発

2018年7月にカナダのバイオベンチャーである Vasomune と、急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした医薬品の共同開発契約を締結した。具体的には、Vasomune が創製した化合物（Tie2 受容体アゴニスト化合物）について全世界を対象とした開発を共同で進め、開発費用と将来の収益を折半する。また、同社は Vasomune に対して、契約一時金及び開発の進捗に応じたマイルストーンを支払うことになる。

最初の適応疾患として重症の呼吸不全である急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を想定した非臨床開発を実施、2020年頃を目途に臨床試験の開始を目指している。POC を取得した段階で、製薬企業に開発・販売権を導出することを想定している。

ARDS は根本的な治療薬がないため、有効な ARDS 治療薬が開発できた場合の潜在的な事業機会は世界で 25 億米ドル以上あると期待されている。また、将来的には喘息など他の疾患にも共同開発を広げていく可能性がある。同社は HGF 遺伝子治療薬の開発を通じて蓄積した血管疾患に関する知見とノウハウを、今回の共同開発で生かしていくとしている。

■ 業績動向

2019年12月期は研究開発費の減少により、営業損失縮小を見込む。

1. 2019年12月期第1四半期の業績概要

2019年12月期第1四半期の事業収益は前年同期比 2.4% 増の 75 百万円、営業損失が 918 百万円（前年同期は 590 百万円の損失）、経常損失が 938 百万円（同 587 百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失が 1,183 百万円（同 537 百万円の損失）となった。

業績動向

事業収益は、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の売上が前年同期比 1.0% 減の 73 百万円となったが、研究開発事業収益 2 百万円を計上したことで若干の増収となった。事業費用では、売上原価が「ナグラザイム®」の仕入減に伴い同 0.5% 減となった一方で、研究開発費が同 72.3% 増、金額で 291 百万円の増加となった。外注費が 213 百万円増加したほか、原材料の評価替に伴い研究用材料費が 83 百万円増加したことによる。また、販管費は同 17.3% 増、金額で 39 百万円の増加となった。主に、HGF 遺伝子治療用製品の製造販売に向けた準備費用の発生及び新規事業へのコンサルタント契約に伴い、支払手数料が 13 百万円増加したほか、租税公課が 14 百万円増加した。

この結果、営業損失は前年同期比で 328 百万円拡大した。また、営業外収支がやや悪化しているが、これは新株予約権の行使により株式交付費が 19 百万円増加したことなどが要因となっている。また、特別損失として投資有価証券評価損 243 百万円を計上している。

なお、同社は 2019 年 3 月にイスラエルを拠点とする米国のバイオベンチャー、Emendo Biotherapeutics（以下、Emendo）への投資について取締役会において決議したことを発表している。Emendo はゲノム編集の安全性を高める技術を開発しており、同技術を活用することで同社は遺伝子治療薬開発の優位性を確保し、更なるパイプラインの拡充につなげていくことを目的としている。

2019 年 12 月期第 1 四半期連結業績

(単位：百万円)

	18/12 期 1Q		19/12 期 1Q	
	実績	実績	前年同期比 増減率	前年同期比 増減額
事業収益	73	75	2.4%	1
売上原価	36	35	-0.5%	-0
研究開発費	402	693	72.3%	291
販管費	225	264	17.3%	39
営業利益	-590	-918	-	-328
経常利益	-587	-938	-	-351
特別損益	52	-243	-	-295
親会社株主に帰属する 四半期純利益	-537	-1,183	-	-646

出所：決算短信よりフィスコ作成

2. 2019 年 12 月期の業績見通し

2019 年 12 月期の事業収益は前期比 45.1% 減の 335 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 2,800 百万円と期初計画を据え置いた。事業収益については前期に計上した研究開発事業収入 227 百万円がなくなるほか、「ナグラザイム®」の売上も減少する見込み（BioMarin との販売契約が、2019 年 3 月末に終了）。一方で、国内における HGF 遺伝子治療薬の条件及び期限付販売承認によって、田辺三菱製薬からのマイルストーン収入及び販売ロイヤリティ収入を見込んでいた模様だ。「ナグラザイム®」については四半期ベースで安定的に 100 百万円前後の売上が計上してきたが、3 月末で販売契約が終了したことにより、第 2 四半期以降は第 1 四半期末の商品 47 百万円分の売上が計上されることになる。原価率は約 49% のため、売上換算すると残り 1 億円弱と試算される。

業績動向

事業費用については、HGF 遺伝子治療薬の国内における市販後調査にかかる費用等の発生により販管費が前期比で増加するものの、研究開発費が前期の 2,539 百万円から減少する見込みとなっており、営業損失は前期比で 565 百万円縮小する見通し。

2019年12月期連結業績見通し

(単位：百万円)

	18/12 期 実績	19/12 期	
		期初計画	前期比増減額
事業収益	610	335	-275
営業利益	-3,065	-2,800	265
経常利益	-3,096	-2,800	296
親会社株主に帰属する 当期純利益	-2,996	-2,800	196

出所：決算短信よりフィスコ作成

新株予約権の行使により調達した資金で、 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

2019年12月期第1四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 3,884 百万円増加の 11,935 百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産は新株予約権の行使が進んだことで現金及び預金が 3,706 百万円増加した一方で、売掛金が 114 百万円、原材料の評価替に伴い原材料及び貯蔵品が 144 百万円、外注試験の終了により前渡金が 228 百万円それぞれ減少した。固定資産は、主に提携先への投資により投資有価証券が 676 百万円増加した。

負債合計は前期末比 59 百万円減少の 256 百万円となった。買掛金が 42 百万円減少したほか、未払法人税等が 27 百万円減少した。また、純資産は同 3,944 百万円増加の 11,678 百万円となった。新株予約権の行使により資本金及び資本剰余金がそれぞれ 2,445 百万円増加したほか、投資有価証券評価損を計上したことでその他有価証券評価差額金が 250 百万円増加した一方で、親会社株主に帰属する四半期純損失 1,183 百万円の計上により利益剰余金が減少した。

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）の行使は株価上昇を受けて順調に進み、5月も約 16 億円分の行使が進み、全ての行使が完了した。2019年12月期の業績が計画どおり進捗し、大きな投資がなければ、2019年12月期末で 100 億円程度の現金及び預金が残る計算となる。

業績動向

同社は今回調達した資金を、開発パイプライン拡充（53億円）や HGF 遺伝子治療薬の市販後調査（11.5億）等に充当する予定にしている。新規パイプラインについては、今後4年間で4～5品目を取り込む想定となっている（1件当たり投下資金で8～10億円）。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、ゲノム編集の技術開発企業である米国の Emendo への投資等も同計画に含まれている。また、現在進めている開発プロジェクトについては、ライセンスアウトを早期に行うことで資金効率を高め、次期パイプラインの投資資金に充当していく方針となっている。

連結貸借対照表

（単位：百万円）

	16/12 期末	17/12 期末	18/12 期末	19/12 期 1Q 末	前期末比
流動資産	3,619	3,433	7,542	10,743	3,201
（現金及び預金）	995	1,147	5,784	9,491	3,706
固定資産	919	530	508	1,191	683
総資産	4,539	3,963	8,050	11,935	3,884
負債合計	669	341	316	256	-59
純資産	3,869	3,621	7,734	11,678	3,944
経営指標					
自己資本比率	85.0%	85.1%	95.4%	97.5%	2.1pt

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

2025 年ビジョンとして遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は長期ビジョンとして、「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」、また、「治療法のない病気の新薬を実用化すること」の2点に取り組むことで遺伝子医薬のグローバルリーダーになることを目指している。

黒字化の時期に関しては現在の開発パイプラインの進捗状況次第となるが、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、今後は国内での販売動向だけでなく米国での開発動向にも注目が集まるものと思われる。

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