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 >>>

2021 年 12 月 6 日 (月)

執筆：客員アナリスト
佐藤 譲
FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**

FISCO Ltd.
https://www.fisco.co.jp

目次

■要約 01
1. 新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況について 01
2. その他開発パイプラインの動向 02
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 05

■新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況 06
1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況 06
2. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」の開発状況 09

■主要開発パイプラインの動向 11
1. HGF 遺伝子治療用製品 11
2. NF-κB デコイオリゴ DNA 14
3. 高血圧 DNA ワクチン 15
4. Emendo のゲノム編集技術 16

■業績動向 17
1. 2021 年 12 月期第 3 四半期累計の業績概要 17
2. 2021 年 12 月期の業績見通し 19
3. 財務状況について 19

■今後の成長戦略 20
1.「コラテジェン ®」の事業価値最大化 21
2. ポスト「コラテジェン ®」の育成 21
3. 新規事業領域への展開 22

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

要約

新型コロナウイルス感染症ワクチンは実用化に向け開発を継続していく方針

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。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、開発の進捗状況など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。2020 年 12 月に米国で先進ゲノム編集技術の開発を行う EmendBio Inc.（以下、Emendo）を子会社化している。

1. 新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況について

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対する DNA ワクチンの開発について、同社は 2020 年より実施してきた第 1/2 相臨床試験及び第 2/3 相臨床試験の結果について 2021 年 11 月 5 日付で発表した。各臨床試験で安全性を確認できたものの、有効性については期待する効果が得られなかったとしている。同社は有効性を高めるための取り組みとして、同年 8 月より高用量製剤での第 1/2 相臨床試験を実施している。同試験結果で先行品と同程度の有効性が確認できれば、第 3 相臨床試験に進みたい考えだ。ただ、同試験は多額の費用が掛かるため、国の補助金または製薬企業とのアライアンスによる資金面でのサポートが必要となってくる。高用量製剤を用いた臨床試験は予定症例数のワクチン接種が完了しており、今後海外の専門機関で測定・評価する予定となっている。一方、カナダの Vasomune Therapeutics（以下、Vasomune）と共同開発中の治療薬「AV-001」（重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象）は、前期第 2 相臨床試験の開始に向けた準備を進めている段階にある。「AV-001」の開発にあたっては米国やカナダの政府機関から総額で 10 億円を上回る助成金を獲得したことを Vasomune が発表しており、今後の開発費用等に充当していくことにしている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2. その他開発パイプラインの動向

慢性動脈閉塞症を対象とした HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」の国内における市販後調査※並びに適応拡大のための第 3 相臨床試験、米国での後期第 2 相臨床試験については、順調に被験者登録が進んでいる。また、米国で実施している椎間板性腰痛症を適応症とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の開発については、大手製薬企業とのライセンス契約も視野に入れながら第 2 相臨床試験の開発計画を策定している段階にある。オーストラリアで実施している高血圧 DNA ワクチンの開発については、第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験結果を 2021 年 2 月に発表した。安全性に問題がないことや同ワクチン接種者から抗アンジオテンシン II 抗体が得られたことが確認されている。今後は投与量を増やして安全性及び有効性を確認する臨床試験を継続していく予定にしている。また、米子会社の Emendo については、先進ゲノム編集技術を用いて複数の開発を進めており、2021 年内に複数回にわたり学会で開発の成果を発表している。同技術は業界のなかでも注目されており、ライセンス供与に向けて、複数のバイオベンチャーや製薬企業と交渉を進めている状況にあり、2022 年には今後の開発プロジェクトの選定も含めて具体的な動きが出てくるものと期待される。

※「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、厚生労働省から条件及び期限付製造販売承認を 2019 年 3 月に取得し、同年 9 月より提携先である田辺三菱製薬 (株) を通じて販売を開始すると同時に、市販後調査（予定症例数 120 例中、2021 年 6 月時点で約 100 例）を実施している。同調査の結果を持って本承認の申請を行うことになる。

3. 業績動向

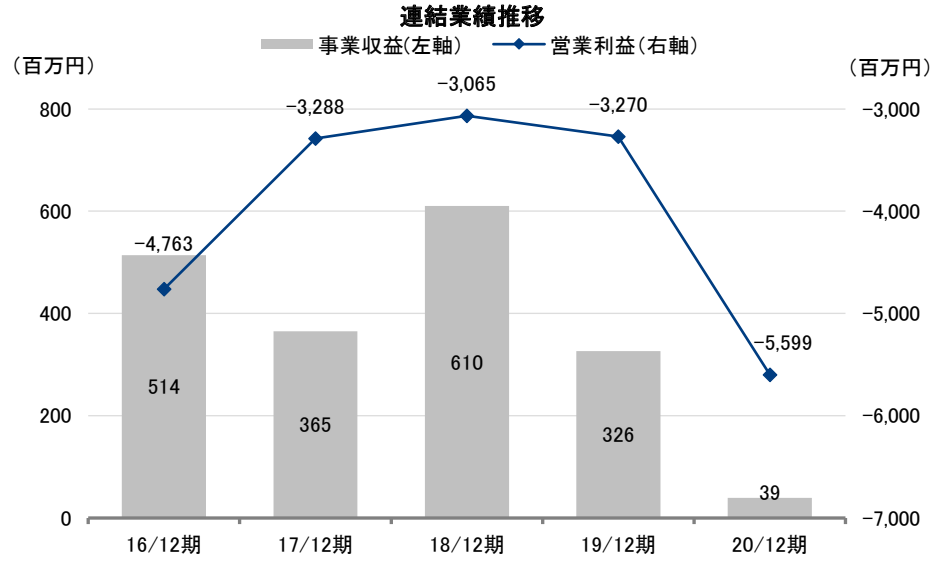
2021 年 12 月期第 3 四半期累計（2021 年 1 月 − 9 月）の売上高は前年同期比 56.9% 増の 44 百万円、営業損失は 12,163 百万円（前年同期は 2,857 百万円の損失）となった。売上高はコラテジェン ® の販売増に加えて手数料収入の計上が増加要因となった。一方、営業損失が拡大しているのは、新型コロナウイルス感染症ワクチンの研究開発費用増加に加えて、新たに子会社化した Emendo の事業費用やのれん償却費（1,783 百万円）を計上したことが主因となっている。新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用については国の補助金等で賄われており、国の認定が下り次第、営業外に補助金収入として計上される見込みだ。2021 年 12 月期の業績見通しについては補助金収入の計上時期が流動的なこともあり未定としている。なお、2021 年 9 月末の現金及び預金は約 211 億円となっており、当面の事業活動を進めていくうえでの資金は確保している。

Key Points

- 新型コロナウイルス感染症ワクチンは高用量製剤による追加試験の投与が完了
- 椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA は、第 2 相臨床試験に先立ってライセンス契約を締結する可能性も
- 高血圧 DNA ワクチンは、第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験で安全性と抗体産生を確認、今後も投与量を増やして開発を継続していく方針
- Emendo は 2021 年内に先進的なゲノム編集技術の開発成果を複数回にわたり学会で発表

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

要約



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 遺伝子治療用製品では、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ている。2019 年 3 月に国内で慢性動脈閉塞症患者向けに条件及び期限付製造販売承認を取得し、同年 9 月から田辺三菱製薬を通じて販売を開始しているほか、米国にて 2020 年 2 月より後期第 2 相臨床試験を実施している。

その他のパイプラインでは、2018 年より米国で椎間板腰痛症を対象とした核酸医薬品である NF-κB デコイオリゴ DNA の後期第 1 相臨床試験を開始したほか、同年 4 月よりオーストラリアで高血圧症を対象とした DNA ワクチンの第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験を開始し、いずれも良好な結果が得られたことを発表している。また、2020 年 3 月に新型コロナウイルス感染症の予防 DNA ワクチンについて大阪大学との共同開発を発表し、現在臨床試験を継続している。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

アライアンス戦略についても 2018 年以降積極的に展開している。2018 年に共同開発契約を締結していたカナダの Vasomune が、新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬候補品となる「AV-001」の開発を進めているほか、同年にマイクロバイオームの研究開発を行うイスラエルの MyBiotics Pharma Ltd.（以下、MyBiotics）に出資した。また、米国の Brickell Biotech, Inc.（以下、Brickell）と、2020 年 9 月に新型コロナウイルス感染症予防 DNA ワクチンの米国での臨床開発に関する共同開発契約を締結し、同年 12 月には先進のゲノム編集技術を開発する米国の Emendo を買収し、100% 子会社化している。

会社沿革

年月	沿革
1999年12月	遺伝子治療用製品、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 リミテッドを設立（2019 年に清算）
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 BioMarin Pharmaceutical 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 DNA 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
2014年10月	HGF 遺伝子治療用製品の国際共同第 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 遺伝子治療用製品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 Incorporated 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 DNA ワクチン分野で米 Vical と戦略的事業提携契約を締結
2018年 1月	国内で HGF 遺伝子治療用製品（慢性動脈閉塞症）の再生医療等製品の製造販売承認を申請
2018年 2月	米国で椎間板性腰痛症を対象疾患とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の後期第 1 相臨床試験開始
2018年 4月	オーストラリアで高血圧 DNA ワクチンの第 1/ 前期第 2 相臨床試験を開始
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	国内で慢性動脈閉塞症における「潰瘍の改善」を効能とした HGF 遺伝子治療用製品の条件及び期限付製造販売承認を取得 米国の EmendoBio と資本提携 ナグラザイム ® の販売権を BioMarin Pharmaceutical の日本法人に承継
2019年 8月	イスラエルのバイオハイテク企業である Barcode Diagnostics と資本提携
2019年 9月	国内で HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」の国内での販売を開始
2019年10月	国内で慢性動脈閉塞症における「安静時疼痛」の改善を目的とした HGF 遺伝子治療用製品の第 3 相臨床試験を開始
2020年 2月	米国で下肢潰瘍を有する閉塞性動脈硬化症を対象とした HGF 遺伝子治療用製品の後期第 2 相臨床試験を開始
2020年 3月	大阪大学と共同で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの共同開発を発表
2020年 6月	国内で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの第 1/2 相臨床試験を開始
2020年 9月	米 Brickell Biotech（旧、Vical）と新型コロナウイルス感染症 DNA ワクチンの共同開発契約を締結
2020年12月	国内外で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの第 2/3 相臨床試験を開始 EmendoBio を完全子会社化 Vasomune と共同開発を進めている新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」の第 1 相臨床試験を米国で開始

出所：有価証券報告書、会社資料、決算説明会資料よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

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用製品、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。開発が社会的な使命であるととも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」を対象としている。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て、開発パイプラインの強化とリスク分散を図っている。

同社のビジネスモデルの主軸は、研究開発に特化し（製造は外部の専門機関に委託）、開発品についての共同開発や独占製造販売権許諾契約を大手製薬企業と締結することで、契約一時金や開発の進捗状況に応じたマイルストーン収入を獲得し、また、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を獲得するモデルとなる。

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損失が続いているが、開発品が上市され、一定規模の売上に成長すれば利益化も視野に入ってくる。

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、候補物質の創製および絞り込み
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

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況

新型コロナウイルス感染症ワクチンは高用量製剤による追加試験の投与が完了

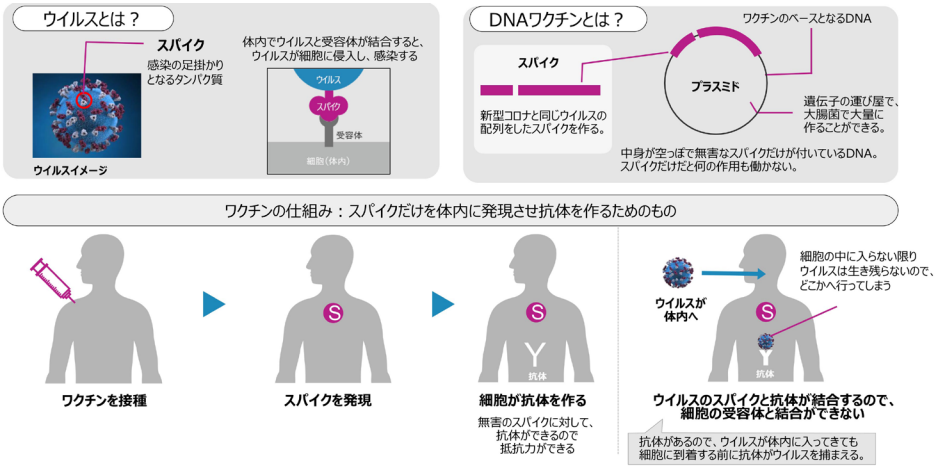
1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況

新型コロナウイルス感染症ワクチンについては、2020 年 12 月以降、欧米などで米ファイザー <PFE> やモデルナ〈MRNA>、イギリスのアストラゼネカ <AZN> など大手製薬企業の開発した製品の承認が相次ぎ、集団接種が進んでいる。国内においてもこれらのワクチンが相次ぎ承認され高齢者から接種が進んでおり、2021 年 11 月 10 日時点では全人口の約 74% が 2 回接種を終えている（65 歳以上の高齢者は約 91%）。ただ、海外では変異株により感染が再拡大している国もあり、収束したとは言えない状況にある。このため、政府では国内での感染拡大を抑止するために、12 月より 3 回目のワクチン接種を開始することを決定した。ワクチンの需要は今後も続く見通しであり、国産ワクチンを保有しておく必要があることから、同社を含めて複数の企業が国からの補助金も得ながら開発を進めている状況にある。

同社では 2020 年 3 月より大阪大学と共同で開発しているプラスミド DNA ※1 製法を用いたワクチンの開発を進めている。同ワクチンは、新型コロナウイルスの遺伝子をプラスミドに挿入し、このプラスミドを大腸菌で大量培養した後に DNA を抽出して製剤化する。無害化された DNA ワクチンを投与することで、新型コロナウイルスに対する免疫（抗体）※2 を作り、感染症の発症や重症化を防ぐことが可能となる。

※1 プラスミド（plasmid）とは、大腸菌などの細菌や酵母の核外に存在し、細胞分裂によって娘細胞へ引き継がれる DNA 分子の総称。一般的に環状の 2 本鎖構造を取り、染色体の DNA からは独立して複製を行う。その独立した遺伝子複製機構から、遺伝子組み換え操作のベクターとして創薬などで利用されている。このプラスミドを大腸菌に導入し、大腸菌の大量培養により目的の DNA を増幅する。プラスミド製法では、HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」が上市済みであり、安全性は確認されている。
※2 ウイルスや細菌などの抗原が体内に入り込んだとき、そのたんぱく質に反応し、体から追い出すためにできる対抗物質。

新型コロナウイルス感染症向け DNA ワクチン開発について



出所：会社提供資料より掲載

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

現在の開発状況については、2021 年 8 月より高用量製剤を用いた第 1/2 相臨床試験を開始しており、同年 11 月 10 日付で目標症例数 400 症例の接種を完了したことを発表している。また、2020 年に実施した第 1/2 相臨床試験および同年 12 月より開始した第 2/3 相臨床試験（予定症例数 500 例）の結果についても 11 月 5 日付で発表しており、それぞれの臨床試験において安全性は確認できたものの、有効性については期待する効果が得られなかったこと明らかにしていた。このため現在進めている高用量製剤を用いた臨床試験により先行品と同等程度の有効性が確認できれば、第 3 相臨床試験に進むことになる。ただ、同試験はアジア地域でのワクチン接種も含めて 3 ～ 4 千人規模の症例数が想定されており、多額の開発費用を要するため国の補助金または製薬企業とのアライアンスによる資金面でのサポートを得られることが必要となってくる。また、現在実施している臨床試験の主要評価項目である免疫原性の測定は海外の専門会社に委託しているが、コロナ禍で当該会社も繁忙が続いているようで、最終的な結果が判明する時期については未定となっている。

なお、現在実施している第 1/2 相臨床試験では、接種方法として筋肉内接種に加えて新たに皮内接種も実施した。皮内接種は筋肉内接種よりも少ない投与量で同等程度の効果が得られる可能性があり、今回、試験することになった。皮内接種のデバイスはダイセル <4202> が開発する薬剤送達デバイス「アクトランザ ™ ラボ」を用いている。火薬を駆動力とするため、針を用いることなく薬剤を接種することが可能となる。1 回当たり用量や接種間隔・回数を 5 つにグループ化し、それぞれ 80 例の試験を実施している。筋肉注射の合計接種量は、第 2/3 相臨床試験では 4mg であったものを、今回は 6mg、8mg、16mg に増量している。一方、皮内接種では合計投与量が 2mg、3mg と前回よりも多い接種量での試験となる。皮内接種で良いデータが得られれば、薬剤コストも低減できることになり、その結果が注目される。なお、現在開発を進めているワクチンは、PMDA のガイドラインにもとづき、当初中国で感染拡大した武漢型と呼ばれるものに対応したものとなるが、変異株についてもプラスミドに導入する遺伝子を変えるだけで済むため、比較的迅速に開発することは可能となっている。

臨床試験の概要

接種方法	筋肉内			皮内	
1 回当たり用量	2mg	4mg	8mg	1mg	1mg
接種間隔と回数	2 週間隔 3 回	4 週間隔 2 回	4 週間隔 2 回	2 週間隔 3 回	4 週間隔 2 回
合計接種量	6mg	8mg	16mg	3mg	2mg
症例数	80	80	80	80	80

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

現在のワクチンの開発や量産体制構築に向けた費用については、国の補助金等で賄われている。具体的には、AMED が 2020 年 5 月に公募した「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発」に採択され、研究開発費 20 億円（直接経費、研究開発期間：2020 年 6 月 − 2021 年 3 月）の支援を受けているほか、厚生労働省が公募した「令和 2 年度ワクチン生産体制等緊急整備事業」にも同年 8 月に採択され、約 93 億円の交付金（事業期間：2020 年 8 月 − 2022 年 3 月）を受けて、タカラバイオ <4974> が中心となって大規模生産体制の構築を進めている。さらに、AMED が公募した「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発」（2 次公募、研究開発予定期間：2020 ～ 2021 年度目途）にも同年 8 月に採択されている（金額は非開示）。これら補助金については、AMED 及び厚生労働省から一部が入金されており、2021 年 9 月末時点で前受金として 6,534 百万円を貸借対照表上に計上している。期間損益上では研究開発費として計上しているが、今後、同社が提出したプロジェクトの報告書の審査を AMED や厚生労働省等で行い、適切と認証された時点で補助金収入として営業外収益に計上されることになっている。その一部として 2020 年度分のプロジェクト報告書を提出して審査が行われ、2021 年 12 月期に 1,400 百万円が営業外収益として計上されることとなった。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

なお、同社のワクチン共同開発プロジェクトについては、多くの企業が参画している。ワクチンの製造に関してはタカラバイオをはじめ、Kaneka Eurogentec S.A.、AGC Biologics S.p.A.、シオノギファーマ (株)、Cytiva などが大規模治験に向けた体制整備に取り組んでいる。また、次世代ワクチンの開発についても前述したダイセルの薬剤送達デバイスのほか、様々な研究開発が行われている。変異株に対する効果の高い DNA ワクチンの開発についても、共同開発先の大阪大学で取り組んでいる。

新型コロナウイルス向け DNA ワクチンの共同開発参画企業と内容

発表日	会社名	活用技術	内容
2020年3月13日	ダイセル	薬剤送達デバイス	火薬を駆動力として針を用いることなく薬液を特定の細胞内に送達する新規投与デバイス「アクトランザ ™ ラボ」を用いて、遺伝子発現効率を高め、DNA ワクチンの抗体産生力を増強する。
2020年4月 7日	EPS ホールディングス	-	非臨床試験・臨床試験の支援機関として参画。
2020年4月 8日	ファンペップ	アジュバントを活用したペプチド	大阪大学発ベンチャーで、「AJP001」(アジュバント様作用を示すペプチド) を用いた抗体誘導ペプチドの研究開発を行っている。「AJP001」又は AJP001 とエピトープ (新型コロナウイルスの一部の抗原ペプチド) を結合した「抗体誘導ペプチド」を DNA ワクチンに併用投与する共同研究に取り組み、より有効性の高い次世代 DNA ワクチンの開発を進める。
2020年4月14日	ペプチド研究所	抗体価測定のためのペプチド	大阪大学蛋白質研究所に端を発する会社で、同社のペプチド合成、精製及び分析技術を駆使して調製されたペプチド - ウシ血清アルブミン結合体(BSA コンジュゲート)を用いることにより、抗体価を高い精度で測定することが可能となり、非臨床試験や臨床試験の速やかな実施が期待される。
2020年4月21日	新日本科学	-	非臨床試験の支援機関として参画、安全性等の検証を行う。
2020年4月27日	ヒューマン・メタボローム・テクノロジーズ	メタボロミクス技術	細胞や生体内に存在する代謝物質を包括的に測定することで、生命現象を解析するメタボロミクス技術を用いて、ワクチン接種後の生体内の代謝変動を分析し、抗体価等の生体情報の変動とあわせて解析することにより、その関連性の研究を進めていくとともに、ワクチンの有効性等の評価指標となるバイオマーカーの探索を共同で進めていく。
2020年4月30日	フューチャー	AI を用いた抗原探索システム	大阪大学及びファンペップと共同で、抗体誘導ペプチドを効率的に開発するための AI を活用した抗原探索システムの研究開発を行っている。同システムを利用することで、抗原配列等の設計を最適かつ効率的に行い、より効果の高い次世代ワクチンの開発のスピードアップを図る。
2020年5月18日	スリー・ディー・マトリックス	抗体検査キット	ワクチン臨床試験における投与前抗体有無の確認を目的とした抗体検査キットの国内での臨床利用可能性を検討。
2020年5月21日	AGC Biologics、Cytiva	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。AGC Biologics は中間体を分担製造、Cytiva は精製用資材を供給。
2020年6月18日	シオノギファーマ	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。中間体を分担製造。
2020年8月4日	Kaneka Eurogentec	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。中間体を分担製造。

出所：会社発表資料よりフィスコ作成

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

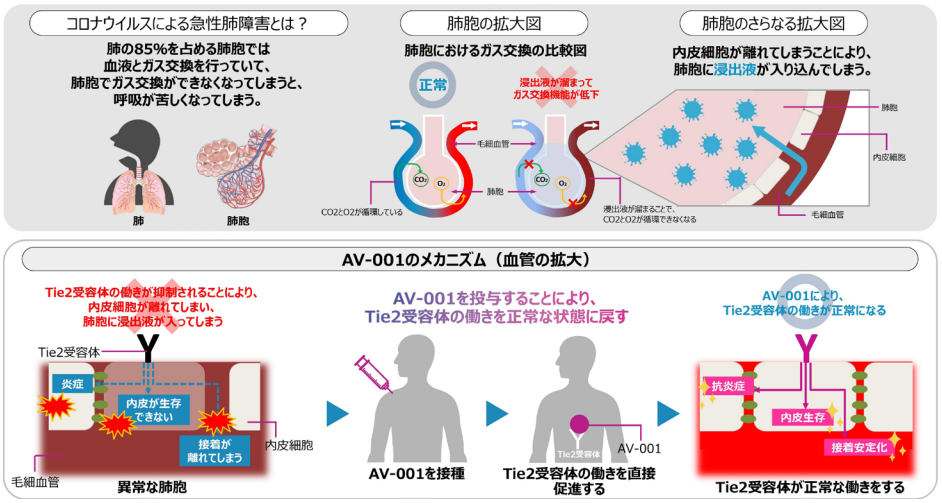
共同開発品の新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」は、米国、カナダの政府機関から追加で助成金を獲得

2. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」の開発状況

カナダの Vasomune と共同開発を進めている「AV-001」（Tie2 受容体アゴニスト化合物）※は、重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者向け治療薬として開発を進めている。肺炎患者は、ウイルスの影響で Tie2 受容体の働きが抑制されることにより肺の血管機能が壊れ、肺胞に浸出液が入り込むことで肺炎を発症する。「AV-001」は Tie2 受容体の働きを活性化させる効果があり、これによって血管機能が正常化し、肺胞に浸出液が入り込まなくなることで、炎症を沈静化させるメカニズムとなる。急性肺炎による呼吸不全が新型コロナウイルス感染症患者の死亡原因の一つとなっており、「AV-001」の開発に成功すれば死亡率の低減につながるものと期待されている。

※ 同社は 2018 年 7 月に 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「AV-001」（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し、また、同社が 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というもの。同社は HGF 遺伝子治療用製品の開発を通じて蓄積した血管領域の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。

“新型コロナウイルス”治療薬開発について



出所：決算説明会資料より掲載

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

開発状況について見ると、米国で実施した第 1 相臨床試験で安全性と忍容性についての良好な結果が得られたことを 2021 年 3 月に Vasomune が発表しており、前期第 2 相臨床試験開始に向けた最終段階の準備に入っている。「AV-001」の開発にあたっては、米国およびカナダの政府関係機関から Vasomune が助成金を獲得している。米国国防総省からは「医療研究プログラム（Peer Reviewed Medical Research Program：PRMRP)」における Clinical Trial Award として 2020 年 8 月に 280 万米ドルの助成金を受賞したほか、2021 年 11 月には最大 640 万米ドルの助成金を受賞したことを発表している。同資金は前期第 2 相臨床試験に活用していく。また、カナダ政府機関の NRC IRAP（the National Research Council of Canada Industrial Research Assistance Program）からは 2021 年 3 月に 120 万加ドルの助成金を受けたが、2021 年 8 月に 280 万加ドルに増額修正されている。同資金は第 1 相臨床試験およびカナダ保険省への臨床試験申請に必要なその他の試験のために活用することになっている。

なお、Vasomune が米国およびカナダで獲得した助成金については、同社の開発費負担に応じて Vasomune から受領することになっており、2021 年第 3 四半期に補助金収入として 31 百万円を営業外収益として計上している。今後も Vasomune が獲得した助成金については、同様に補助金収入として計上していくことになる。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

主要開発パイプラインの動向

同社の主要開発パイプラインには、HGF 遺伝子治療用製品、NF-κB デコイオリゴ DNA、DNA 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。

主要開発パイプラインの状況

■条件及び期限付き承認制度

プロジェクト	地域	導出先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用製品	日本	田辺三菱製薬	慢性動脈閉塞症（潰瘍の改善）	条件・期限付き製造販売承認を 2019 年 3 月に取得、同年 9 月より発売を開始するとともに、市販後調査を実施中

■通常の承認制度

プロジェクト	地域	導出先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用製品	日本	田辺三菱製薬	慢性動脈閉塞症（安静時疼痛緩和）	第 3 相臨床試験中（2019 年 10 月～、予定症例数：約 40 例）
	米国	田辺三菱製薬	慢性動脈閉塞症（潰瘍、血流の改善）	後期第 2 相臨床試験中（2020 年 2 月～、予定症例数：60 例）
	イスラエル	Kamada	慢性動脈閉塞症	Kamada が規制当局と協議を行い、申請準備中
	トルコ	Er-Kim	慢性動脈閉塞症	Er-Kim とトルコでの独占的販売権許諾に関する基本合意書を 2020 年 10 月締結（申請準備中）
NF-κB デコイオリゴ DNA	海外	-	腰痛症	米国で後期第 1 相臨床試験完了（2018 年 2 月～ 2021 年）
DNA ワクチン（治療用）	海外	-	高血圧	オーストラリアで第 1/ 前期第 2 相臨床試験完了（2018 年 4 月～ 2021 年）
DNA ワクチン（予防用）	日本	-	COVID-19	第 2/3 相試験結果分析中（2020 年 12 月～、予定症例数 500 例）第 1/2 相臨床試験中（2021 年 8 月～、予定症例数 400 例）
	米国	-		2020 年 9 月に米 Brickel Biotech 社と共同開発契約を締結
Tie2 受容体アゴニスト化合物「AV-001」	海外	-	COVID-19 および急性呼吸窮迫症候群	2018 年 7 月に Vasomune と共同開発契約を締結、米国で第 1 相臨床試験終了、前期第 2 相臨床試験の準備中

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

HGF 遺伝子治療用製品の市販後調査並びに日米での臨床試験は順調に進捗

1. HGF 遺伝子治療用製品

HGF 遺伝子治療用製品は血管新生作用の効果を活用して、閉塞性動脈硬化症のなかでも症状が進行した慢性動脈閉塞症向け治療薬として開発が進められてきた。慢性動脈閉塞症とは、血管が閉塞することによって血流が止まり、組織が潰瘍・壊疽を起こして最終的に下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患である。治療法としてはカテーテル治療や血管バイパス手術などが行われているが、手術ができない状態になっているケースも多く、新たな治療法の開発が望まれていた。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

HGF 遺伝子治療用製品は、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潰瘍の改善や安静時疼痛の緩和といった症状の改善を図るというもの。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※、同年 9 月より「コラテジェン ® 筋注用 4mg」として提携先の田辺三菱製薬を通じて販売を開始した。用法は、虚血部位に対して筋肉内投与を 4 週間間隔で 2 回行い（4mg/ 回）、症状が残存する場合には 4 週間後に 3 回目の投与を行うことも可能となっている。

※ 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。

今回は条件及び期限付承認となるため、製造販売後承認条件評価を行うことになっており、5 年以内に 120 症例のデータを収集し、非投与群 80 症例との比較を行い、同結果を持って本承認の申請を行う予定にしている。本承認されれば薬価も見直される可能性がある。同社では確実に本承認を得るために質の高い患者の登録活動を進めており、早ければ 2021 年内にも予定症例数への投与が完了する見込みとなっている。1 年の経過観察期間を設けているため、症例データを収集し評価・分析結果がまとまるのは 2023 年となる見通しで、結果が良好であれば本申請を行うことになる。同社では 2024 年の本承認取得を目指している。

また、同社は「コラテジェン ®」の対象領域を広げるため、慢性動脈閉塞症で「安静時疼痛の改善」を効能とした第 3 相臨床試験も 2019 年 10 月より開始している。予定症例数は約 40 例で、開始当初はやや進捗が遅れていたが、直近では被験者登録ペースも上がっており、予定通りの進捗となっている。2022 年までに臨床試験を終了し、承認申請を目指すことになる。

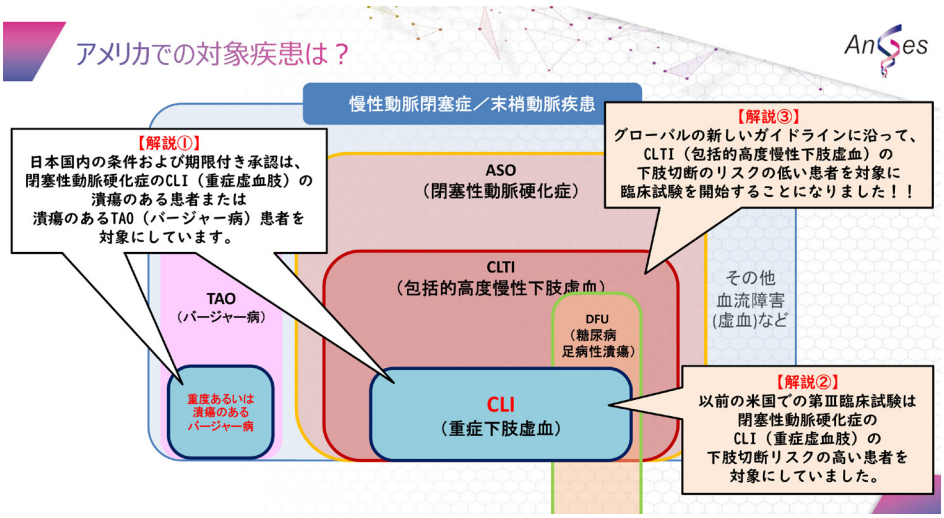
一方、米国では 2020 年 2 月より後期第 2 相臨床試験がスタートしている。2019 年 6 月に閉塞性動脈硬化症のうち、包括的高度慢性下肢虚血についてのグローバル治療指針※が公表されており、同治療指針を踏まえて下肢切断リスクの低いステージ 1 ～ 2 の患者を対象に臨床試験を進めている。国内の臨床試験は症状の重い患者が対象であったが、米国では比較的軽度な患者を対象としているのが特徴だ。主要評価項目は「潰瘍の改善」と「血流の改善」としており、治験プロトコルは HGF 遺伝子治療用製品またはプラセボを 2 週間の間隔を置いて 2 回投与するというもの。被験者を 4mg/ 回、8mg/ 回、プラセボの 3 群に分けて各 20 症例のデータを収集する（観察期間は 12 ヶ月間）。

※ グローバル治療指針（Global Vascular Guidelines；GVG）：包括的高度慢性下肢虚血（CLTI：Chronic limb-threatening ischemia）の初期段階から適切な治療マネージメントを提供することで患者の QOL の向上を図ることを推奨している。本ガイドラインでは臨床ステージを 4 段階（clinical stage1 ～ 4）に分け、それぞれのステージにおける治療方針が示されており、今回の試験では下肢切断リスクの低い clinical stage1 と 2 を対象としている。このステージの患者には、まず潰瘍の治療を考慮することがガイドラインで推奨されており、該当する患者は全体の約 60% と専門家は指摘している。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

主要開発パイプラインの動向

米国で臨床試験開始の対象疾患



出所：決算説明会資料より掲載

米国の臨床試験の進捗状況は、新型コロナウイルス感染症拡大の影響で当初の予定から遅れ気味となっていたが、治験施設を増やしたことで直近では当初の予定通りの進捗になっているもようだ。同社では 2023 年までにデータの解析を完了し、2024 年の試験結果発表を目指している。試験結果が良好であれば、RMAT ※指定制度を用いて早期承認を目指すことも選択肢の一つとして考えているようだ。米国における閉塞性動脈硬化症の患者数は日本と比べて格段に多いだけに、今後の開発動向が注目される。

※ RMAT（Regenerative Medicine Advanced Therapy）：重篤な疾患を開発対象とした再生医療の先端治療法で、臨床試験で一定の効果を示したものに対する指定制度。RMAT 指定を受けた品目は優先審査と迅速承認の機会を得ることができる。

そのほか、2019 年 2 月にイスラエルの 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薬事承認が得られ次第、Kamada が販売を開始することになる。現在、Kamada が同社の臨床試験データを用いて当局と協議を進めている段階にある。また、2020 年 10 月にはスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うトルコの Er-Kim と、トルコでの導出に関する基本合意書を締結したことを発表している。今後、Er-Kim はトルコ当局での薬事承認を取得後に独占販売権を有し、販売、マーケティング、現地での医療活動に関する役割を担っていくことになる。また、薬事承認に先立って、Named Patient Program ※を活用したトルコでの販売を開始する予定にしている。

※ Named Patient Program とは、特定の患者に代わって、医師からの要求に応じて、人道的見地から当該国での未承認の医薬品を提供するプログラムのこと。同プログラムに申請して承認されれば、患者は後期段階の臨床試験中の薬や他国で既に承認済みの薬の提供を受けることが可能となる。

なお、HGF 遺伝子治療用製品の販売承認を条件付きながらも国内で得られたことで、国内初の遺伝子治療用製品となっただけでなく、プラスミド（DNA 分子）製品及び HGF 実用化製品、末梢血管を新生する治療用製品、循環器医療領域での治療用製品として世界初となり、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す同社にとっては大きな第一歩を踏み出したものと評価される。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

椎間板性腰痛症を対象とした NF-κB デコイオリゴ DNA は、第 2 相臨床試験に先立ってライセンス契約を締結する可能性も

2. NF-κB デコイオリゴ DNA

NF-κB デコイオリゴ DNA 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 NF-κB デコイオリゴ DNA（開発コード AMG0103）を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 月より米国で後期第 1 相臨床試験（プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験、単回 0.3mg、3.0mg あるいは 10mg 投与、25 症例）を実施し、全症例の投与後 12 ヶ月間におけるトップラインデータを 2021 年 4 月に発表した。

発表資料によれば、12 ヶ月間の観察期間を通じて重篤な有害事象は認められず高い安全性が確認されたこと、有効性についても投与早期に腰痛が大幅に軽減し、腰痛の抑制効果も投与 12 ヶ月後まで継続したことが確認されたとしている。また、患者自身からも高い満足度が得られており、良好な結果が得られたものと同社では評価している。

治験責任医師からも、「AMG0103 は素晴らしい安全性プロファイルを有し、12 ヶ月にわたり腰痛を有意に軽減しており、慢性椎間板性腰痛症に苦しむ患者に対して画期的治療薬となる可能性があると考えています。さらに、腰痛の軽減に加えて、椎間板の高さを回復させる可能性が示唆されたことは注目に値します。」とのコメントを得ている。現在、慢性椎間板性腰痛症に関しては、一般療法としてステロイド注射（対処療法）が使われることが多いが、同治療薬との比較においても同等以上の効果が得られたとしている。ステロイドが一時的な対処療法であるのに対して、AMG0103 は炎症を抑制する効果があり、その結果として腰痛の症状が改善することが理由と考えられる。

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は多い。米国では治療法として椎間板内注射が一般的であり、手技に習熟している医師も多く AMG0103 の導入が進む環境は整っている。ただ、価格面を考えると鎮痛効果だけでは既存治療法と差別化が難しいため、椎間板変性に対する進行抑制効果や修復促進効果などが今後の臨床試験で確認できれば開発成功に向けて大きく前進するものと思われる。現在、FDA と第 2 相臨床試験のプロトコルについて協議を進めている状況にあるが、今回のトップラインデータの発表を受けて製薬企業からも多く関心が寄せられており、ライセンス契約等に発展する可能性も出てきている。同社では現在、FDA と第 2 相臨床試験の内容について協議を進めると同時に、製薬企業とのライセンス交渉も並行して進めており、第 2 相臨床試験の開始前にライセンス契約が決まる可能性も出てきている。なお、AMG0103 の開発に成功すれば、慢性椎間板性腰痛症に使用される世界初の核酸医薬品となる可能性がある。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

(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-κB デコイオリゴ DNA と比較して、「STAT6」と「NF-κB」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る。実際、動物実験では NF-κB デコイオリゴ DNA よりも強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、NF-κB デコイオリゴ DNA よりも分子量が 3 ～ 4 割少ないため、生産コストを低く抑えることが可能といった長所も持つ。

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-κB デコイオリゴ DNA で開発を継続するが、今後の新たな開発は、「キメラデコイ」に移行していくことになる。現在、適応疾患の選定を行っている状況にあり、非臨床試験の開始時期は未定となっている。

高血圧 DNA ワクチンは、第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験で安全性と抗体産生を確認、今後も投与量を増やして開発を継続していく方針

3. 高血圧 DNA ワクチン

プラスミド DNA 製法を用いたワクチンの 1 つとして、高血圧症を対象とした DNA ワクチン（AGMG0201）の開発を進めている。同ワクチンは大阪大学の森下竜一（もりしたりゅういち）教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、血圧の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。

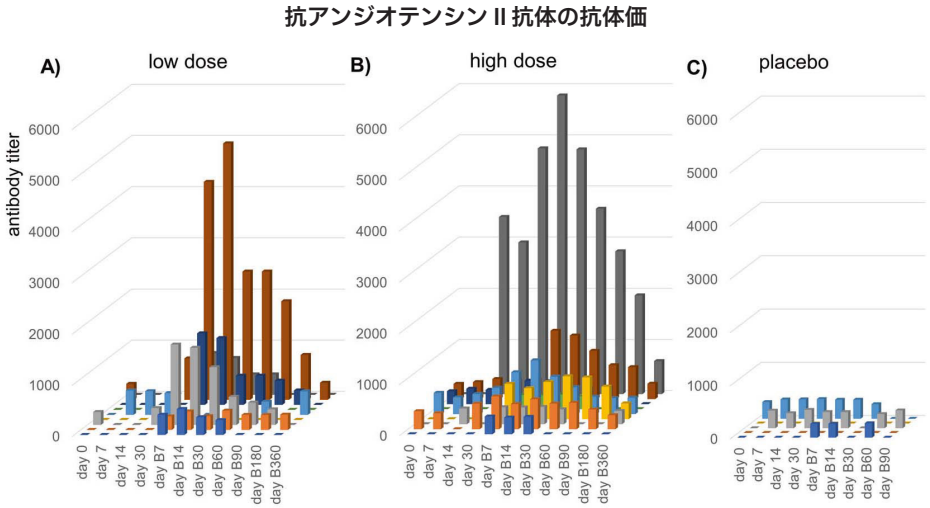
現在、主力の治療薬としては ARB（アンジオテンシン II 受容体拮抗薬（経口薬））があるものの、毎日服用する必要があるため、長期的に見れば患者 1 人当たりの治療コストは高い。このため、発展途上国では医療経済上の問題から使用が限定的となっている。同社が開発する DNA ワクチンは既存薬よりも高薬価になると想定されるが、1 回の治療で長期間の薬効が期待できるためトータルの治療コストは逆に低くなる可能性もあり、開発に成功すれば発展途上国も含めて普及拡大が期待される。

同社は 2018 年 4 月よりオーストラリアで第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験（プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験、予定症例数 24 例）を開始し、2020 年 3 月にすべての患者への投与を完了した。二重盲検下で 6 ヶ月間の安全性と有効性（血圧の低下等）を評価し、その後 6 ヶ月の非盲検下での長期安全性及び有効性を評価する試験となっている。

同試験結果については、2021 年 10 月 17 日付で Hypertension Research に論文として掲載されたほか、第 43 回日本高血圧学会総会でも発表している。主な内容としては、安全性に問題が無かったこと、また、DNA ワクチンを投与した患者では、特に高用量群で抗アンジオテンシン II 抗体の産生が多く認められたこと、全体として同ワクチンに対する忍容性は良好だったことを挙げている。ただ、抗体価については被験者ごとでバラつきがあり、今後分析する必要があるとしており、血圧降下作用といった有効性についても別の形でデータを纏めていく予定にしている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

同社では、今回の試験で安全性について問題のないことが確認できたことで、データの詳細分析を行いながら今後の開発方針を改めて策定することにしている。現状では投与量をさらに高めた第 1/2 相臨床試験または第 2 相臨床試験を実施し、安全性と有効性を確認する可能性が高いと弊社では見ている。なお、高血圧 DNA ワクチンに関しては 2020 年 6 月に日本で、7 月に米国でそれぞれ製剤特許及び用途特許を取得している。



出所：Brief report on a phase I/IIa study to assess the safety, tolerability, and immune response of AGMG0201 in patients with essential hypertension

Emendo は 2021 年内に 先進的なゲノム編集技術の開発成果を複数の学会で発表

4. Emendo のゲノム編集技術

新たに子会社化した Emendo では、先進的なゲノム編集技術「OMNI™（オムニ）」を用いて遺伝子治療薬の開発を進めている。ゲノム編集とは、特定の遺伝子（DNA 配列）を DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）によって特異的に切断、編集、改変する技術のことで、ゲノム編集により特定の遺伝子の機能を失わせたり、疾患の原因となっている遺伝子の異常を修正することが可能となる。これまでも複数のゲノム編集技術が開発されており、なかでも、CRISPR/Cas9 は従来技術よりも短時間で簡単に標的となる DNA 配列を切断できる革命的な技術として評価され、その開発者が 2020 年のノーベル化学賞を受賞したことは記憶に新しい。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

Emendo では、これまで一般に用いられてきた既存の Cas9 ヌクレアーゼとは異なる新規の RNA 誘導型ヌクレアーゼ（ガイド RNA がゲノム上の標的配列に Cas9 ヌクレアーゼを誘導する）を探索し、これらをゲノム編集に応用する独自の技術プラットフォームを確立し、それを「OMNI™」と命名した。Emendo が開発する OMNI™ ヌクレアーゼの長所は、ターゲット遺伝子ごとにヌクレアーゼが最適化されるため、高い効率と精度を持ってゲノム編集ができる点にある。ヒトでの遺伝子疾患治療薬の開発では、人体への悪影響を避けるためゲノム編集を高精度に行う必要があり、それが開発のボトルネックにもなっていた。「OMNI™」はそのブレイクスルーとなる技術として注目されている。Emendo では 2021 年内に複数の学会で「OMNI™」技術による開発の成果を発表する予定となっており、同発表の内容を受けて注目度がさらに高まる可能性もある。

同社は社内に専任チームを作り、Emend の経営陣と「OMNI™」の技術を活かした適応症の選定などの協議を進めているが、2022 年にも具体的な開発プロジェクトがスタートするものと予想される。また、「OMNI™」技術の利用を希望するバイオベンチャーや製薬企業などと現在水面下で契約交渉を進めている状況にあり、こちらも 2022 年には具体的な成果が得られる可能性がある。Emendo では「OMNI™」技術を用いた遺伝子治療薬の開発だけでなく、同技術をプラットフォーム化してライセンスフィーを獲得していくビジネスも展開していくことにしている。なお、想定される適応症としては、血液系や眼科、がん疾患のほか、神経系、免疫疾患、循環器系、治療法のない常染色体顕性遺伝子疾患、厳密な発現調節を要する遺伝子疾患など多岐にわたり、潜在的な市場規模も大きいと考えられる。

業績動向

2021 年 12 月期第 3 四半期累計業績は、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用増や Emendo の子会社化により営業損失が拡大

1. 2021 年 12 月期第 3 四半期累計の業績概要

2021 年 12 月期第 3 四半期累計の売上高は前年同期比 56.9% 増の 44 百万円、営業損失は 12,163 百万円（前年同期は 2,857 百万円の損失）、経常損失は 11,823 百万円（同 3,150 百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失は 11,952 百万円（同 3,174 百万円の損失）となった。新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用を中心に研究開発費が増加したことに加え、Emendo の子会社化に伴う事業費用やのれん償却費の計上が損失拡大要因となっている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2021 年 12 月期第 3 四半期累計業績（連結）

（単位：百万円）

	20/12 期 3Q 累計	21/12 期 3Q 累計	前年同期比 増減率	前年同期比 増減額	主な変動要因
売上高	28	44	56.9%	16	スクリーニング検査に係る手数料収入 13 百万円計上
売上原価	16	39	144.5%	23	スクリーニング検査に係る売上原価を計上
研究開発費	1,880	8,490	351.4%	6,609	新型コロナ予防ワクチン及び Emendo の開発費計上
販管費	989	3,678	271.7%	2,688	のれん償却費 1,783 百万円を計上、支払手数料増加
営業利益	-2,857	-12,163	-	-9,305	
経常利益	-3,150	-11,823	-	-8,673	為替差益の増加、持分法投資損失の減少
特別損益	-21	-163	-	-142	投資有価証券評価損の計上
親会社株主に帰属する四半期純利益	-3,174	-11,952	-	-8,778	

出所：決算短信よりフィスコ作成

売上高については、「コラテジェン ®」の販売高が前年同期の 28 百万円から 30 百万円と若干増加したことに加えて、手数料収入 13 百万円を計上したことが増収要因となった。同社は 2021 年 4 月に希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所を川崎生命科学・環境研究センター（神奈川県）内に開設しており、同年 7 月から新生児を対象としたオプショナルスクリーニング検査を開始、その手数料を収入としている。希少遺伝性疾患の治療については、発症早期、望ましくは発症前から開始することが重要と言われており世界的に普及が進んでいる。国内でも地方自治体の事業として、特定の遺伝性疾患の検査をすべての新生児に対して実施する「新生児マススクリーニング」が無償で提供されているほか、対象疾患以外の疾患についても（一社）希少疾患の医療と研究を推進する会が、希望者を対象に有償検査となる「オプショナルスクリーニング」事業を展開している。同社は遺伝子性疾患を対象とした治療薬の開発を進めていることもあり、その規模の拡大や検査対象疾患の拡充、バックアップ体制構築のため、同事業を開始することにした。売上原価の増加も同事業の開始に伴う増加が主因となっている。

研究開発費用が前年同期比で 6,609 百万円増加したが、増加要因の大半は新型コロナウイルス感染症ワクチンの臨床試験及び非臨床試験にかかる費用増によるもので、項目別では、研究用材料費で 1,502 百万円増加したほか、外注費で 3,526 百万円、消耗品費で 292 百万円それぞれ増加した。また、主に Emendo の子会社化に伴い、開発人員の給料手当が 390 百万円増加した。なお、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用については、前述したように国の補助金で賄われることになっており、プロジェクト報告書の審査が認証されれば、営業外収益に計上されることになっている。

販管費については前年同期比で 2,688 百万円増加した。Emendo の子会社化に伴ってのれん償却費 1,783 百万円や販管費を計上したほか、コンサルタントフィー等の支払手数料が 407 百万円増加した。また、営業外収支が前年同期から 632 百万円改善したが、このうち 347 百万円は外貨預金及び Emendo への貸付金の評価替えによる為替差益の増加によるもので、263 百万円が前期まで持ち分法適用関連会社だった Emendo の子会社化に伴い、持分法投資損失がなくなったことによるものとなっている。そのほか Vasomune からの補助金収入 31 百万円を計上している。

また、特別損失として投資有価証券評価損を 163 百万円計上したが、これは前述した Barcode との共同開発を終了したことに伴い、保有株式をすべて減損処理したことによるものとなっている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

2021 年 12 月期も、新型コロナウイルス感染症ワクチン等の開発パイプラインの進展を最優先に取り組む方針

2. 2021 年 12 月期の業績見通し

2021 年 12 月期の業績見通しについては、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況や、国等からの補助金の公募、認定の有無なども含めて未確定な要素が多いことから、現時点では未定としている。

事業方針としては、新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬を筆頭に、既存パイプラインの開発推進に注力していくほか、子会社の Emendo ではゲノム編集技術を用いた具体的な開発品のプロジェクト化を最優先事項として取り組んでいくことにしている。

なお、Emendo の業績については、まだ開発ステージであることから売上計上はなく、年間で 10 億円以上の営業損失が続くものと弊社では予想している（従業員数は前期末の 53 名から現在は 60 ～ 70 名程度に増員）。また、Emendo ののれん償却費は年間で約 23 億円（10 年間均等償却）となり費用増要因となるものの、実際のキャッシュアウトは生じない。

エクイティファイナンスの実施により、手元キャッシュは 200 億円を上回る水準に

3. 財務状況について

2021 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 9,380 百万円増加の 47,735 百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では現金及び預金が 9,603 百万円増加した。第 41 回新株予約権（第三者割当）の行使により調達した 17,474 百万円の一部を事業費用として充当した。固定資産ではのれんが前期末比で 30 百万円減少した。のれん償却費は 1,783 百万円を計上したが、円安に伴う為替換算等で 1,753 百万円の増加要因となっている。また、Barcode の投資有価証券評価損を計上したこと等により投資有価証券が 157 百万円減少した。

負債合計は前期末比 2,246 百万円増加の 7,921 百万円となった。新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発プロジェクトにかかる AMED や厚生労働省からの補助金が入金され、前受金が 2,940 百万円増加の 6,534 百万円となった。一方で、前期分の費用の支払いにより未払金が 687 百万円減少した。

純資産は前期末比 7,134 百万円増加の 39,813 百万円となった。親会社株主に帰属する四半期純損失 11,952 百万円の計上があったものの、新株予約権の行使により資本金及び資本剰余金をそれぞれ 8,747 百万円計上したほか、のれんにかかる為替換算等により為替換算調整勘定が 1,600 百万円増加したことが主因となっている。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

なお、第 41 回新株予約権（第三者割当て）についてはすべて行使が完了し、本新株予約権の発行価額の総額を含めて約 174 億円を調達した。調達資金の使途としては、Emendo の事業運営資金として 90 億円（3 年間）、残りが事業基盤のさらなる拡大に向けた資金（海外企業の買収や資本参加等）に充当していくことにしている。2021 年 9 月末の現金及び預金は 211 億円となっている。2021 年第 3 四半期の損失額はのれん償却費控除前で約 40 億円の水準であり、当面の事業資金は確保されているものと考えられる。

連結貸借対照表

（単位：百万円）

	18/12 期	19/12 期	20/12 期	21/12 期 3Q	前期末比
流動資産	7,542	10,992	14,166	23,723	9,556
（現金及び預金）	5,784	10,040	11,537	21,140	9,603
固定資産	508	1,532	24,187	24,012	-175
（のれん）	-	-	22,713	22,683	-30
総資産	8,050	12,524	38,354	47,735	9,380
負債	316	469	5,674	7,921	2,246
（前受金）	-	-	3,594	6,534	2,940
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産	7,734	12,055	32,679	39,813	7,134
経営指標					
自己資本比率	95.4%	95.5%	84.8%	83.2%	
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

今後の成長戦略

治療法がない疾病分野や難病・希少疾患等を対象に開発を進め、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は経営理念として、「治療法がない疾病分野や難病・希少疾患などを対象にした革新的な遺伝子医薬の開発・実用化を通じて、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する」ことを掲げ、長期ビジョンとして「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、開発パイプラインの進捗状況次第となる。特に、米国で HGF 遺伝子治療用製品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、その動向には注目しておきたい。また、椎間板性腰痛症を対象とした NF-κB デコイオリゴ DNA についても臨床試験の良好な結果を受け、ライセンス契約の可能性が出てきている。Emendo を子会社化したことで中期的に研究開発費の増加が予想されるが、Emendo が開発を進めているパイプライン導出の可能性や、先進的なゲノム編集技術として注目されている「OMNI™」プラットフォーム技術のライセンスフィーを獲得できる可能性も出てきている。

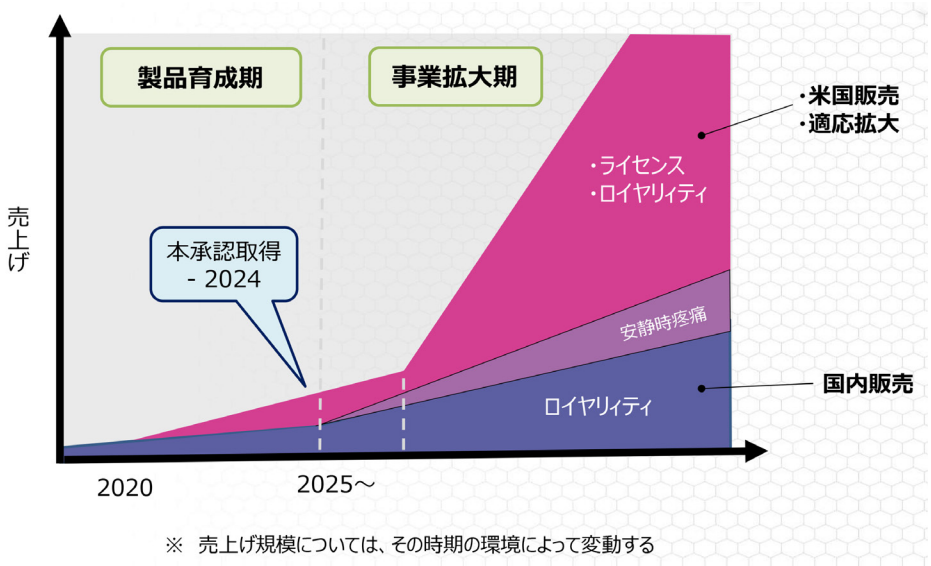
本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

今後の事業展開を進めていくうえでの基本戦略としては、1)「コラテジェン ®」の事業価値最大化、2) ポスト「コラテジェン ®」の育成、3) 新規事業領域への展開の 3 点に注力していく方針だ。

1.「コラテジェン ®」の事業価値最大化

「コラテジェン ®」の国内戦略に関しては「潰瘍の改善」に関する市販化後調査を進め 2024 年の本承認と同時に、「安静時疼痛の改善」に適応拡大を図ることで、治療薬としての価値を高めて薬価の見直しを図りたい考えだ。また、米国では臨床試験を進め早期の販売承認を目指していくとともに、米国の開発状況を見ながら欧州でも上市に向けた開発を進めていく方針となっている。日米欧以外の国や地域でもイスラエルやトルコに続く新たな導出先を開拓していく。さらには、適応症拡大のための基礎試験や臨床研究も推進していく。同社ではこれらの戦略を進めることで「コラテジェン ®」の事業価値最大化を図っていく方針であり、海外での上市や適応拡大が進んだ段階で売上高も本格的な拡大期に入るものと予想される。

「コラテジェン ®」の事業拡大



※ 売上げ規模については、その時期の環境によって変動する

出所：決算説明会資料より掲載

2. ポスト「コラテジェン ®」の育成

「コラテジェン ®」に続く第 2 の柱を育成し、成長基盤の強化を図っていく。椎間板性腰痛症を対象とした NF-κB デコイオリゴ DNA や高血圧症を対象とした DNA ワクチンの開発を推進して導出を目指していくほか、キメラデコイの早期プロジェクト化を目標としている。また、新型コロナウイルス感染症に関する予防用ワクチンや治療薬についても、今後の開発状況次第で収益に貢献することが期待される。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

3. 新規事業領域への展開

「次の 10 年」を見据えた新規事業の展開に向けては、資本提携先との協業も進めながら事業化を目指している。マイクロバイオーム※を用いた医薬品の研究開発を行う Mybiotics は、2021 年 2 月にマイクロバイオームをベースとした細菌性膣炎の治療薬について、スイスの製薬企業である Ferring Pharmaceuticals 等と共同開発していくことを発表している。マイクロバイオームの働きは精神疾患に関係しているとの研究報告があるほか、健康食品やサプリメントとして開発が進む可能性があるなど潜在的な成長性は大きい。同社も将来的にセルフメディケーションにつながる可能性のある事業としてマイクロバイオームに注目しており、将来的に共同開発を進めていく可能性がある。そのほかにも、有望な技術や開発候補品を持つ企業があれば資本業務提携などを行い、パイプラインの強化を進めていく方針となっている。

※ マイクロバイオーム（微生物叢）とは、ヒト微生物叢のゲノムとそれが発現する遺伝子群及び微生物叢とヒトの相互作用を含む広い概念を指す。この微生物叢とヒトとは共生しており、ヒトの身体は微生物叢の集合体とも言える。近年では生活習慣の変化がマイクロバイオームの生理状態の変化を誘導し、それが各疾患の増加に関係しているとの報告もあり、菌を活用して医療やヘルスケアに役立てる研究が活発化している。

本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

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。

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、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

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・表示したものですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポートに掲載されている発行体の有価証券、通貨、商品、有価証券その他の金融商品は、企業の活動内容、経済政策や世界情勢などの影響により、その価値を増大または減少することもあり、価値を失う場合があります。本レポートは将来のいかなる結果をお約束するものでもありません。お客様が本レポートおよび本レポートに記載の情報をいかなる目的で使用する場合においても、お客様の判断と責任において使用するものであり、使用の結果として、お客様になんらかの損害が発生した場合でも、フィスコは、理由のいかんを問わず、いかなる責任も負いません。

本レポートは、対象となる企業の依頼に基づき、企業への電話取材等を通じて当該企業より情報提供を受けて作成されていますが、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、本レポート作成時点におけるものであり、予告なく変更される場合があります。フィスコは本レポートを更新する義務を負いません。

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、フィスコに無断で本レポートおよびその複製物を修正・加工、複製、送信、配布等することは堅く禁じられています。

フィスコおよび関連会社ならびにそれらの取締役、役員、従業員は、本レポートに掲載されている金融商品または発行体の証券について、売買等の取引、保有を行っているまたは行う場合があります。

以上の点をご了承の上、ご利用ください。

■お問い合わせ■
〒107-0062 東京都港区南青山 5-13-3
株式会社フィスコ
電話：03-5774-2443（IR コンサルティング事業本部）
メールアドレス：support@fisco.co.jp