

## アンジェス MG

4563 東証マザーズ

2015年12月18日（金）

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 譲

## ■ 遺伝子医薬分野のグローバルリーダーの地位確立を目指す

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おり、主要開発パイプラインとして、重症虚血肢向けの HGF 遺伝子治療薬やアトピー性皮膚炎向け NF- $\kappa$ B デコイオリゴなどがある。将来有望な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。特に、上記 2 製品については自社で先行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。同社の策定した長期ビジョンでは、有効な治療法のない疾患や難病に対する新薬の開発を進めながら、遺伝子医薬分野のグローバルリーダーとしてその地位を確立し、2025 年に売上高 500 億円以上を目標としている。

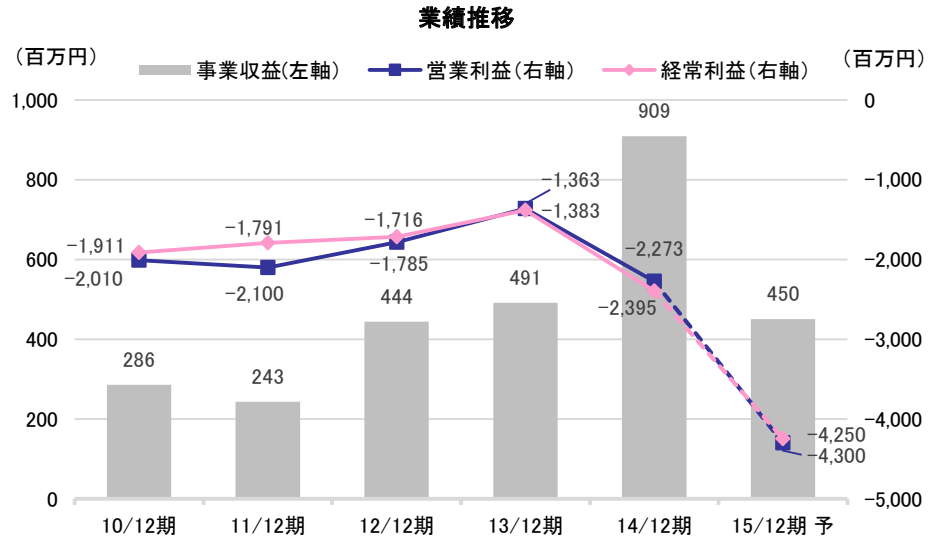
主要開発パイプラインの中で、2016 年に製造販売承認申請を行う可能性のある開発プロジェクトが 3 つある。いずれも国内市場向けで、HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）、NF- $\kappa$ B デコイオリゴ（アトピー性皮膚炎）の 2 つの医薬品と、メディキット<7749>と共同開発している薬剤塗布型バルーンカテーテル（薬剤は NF- $\kappa$ B デコイオリゴ）となる。このうち、バルーンカテーテルについては臨床試験の全症例の観察期間を終了しており、良好な結果が得られれば 2016 年中には承認申請できる見通し。また、残り 2 つの医薬品についても 2016 年中に承認申請を目指している。特に、HGF 遺伝子治療薬については、再生医療等製品に対する早期承認制度である条件及び期限付承認制度を活用した申請を行う予定となっており、早ければ申請後 1 年以内に承認される可能性がある。

HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）では、2014 年 10 月より第 3 相臨床試験のグローバル治験も開始しており、その動向が注目される。重症虚血肢の患者数は米国だけで約 50 万人、そのうち当該治療薬の対象となる患者層での市場規模は約 50 億ドルと予想されているためだ。米国及び国内では田辺三菱製薬<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の他、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 億円程度とすることが見込まれる。米国 FDA からファストトラック（優先審査制度）指定を受けており、2018 年頃に治験が終了した場合、2019 年頃には米国で承認申請を行う可能性が出てきている。欧州の地域を対象とした契約先は決定していないが、パートナーが決まれば米国と同等のマイルストーン等の収益が見込まれる。先行する国内での承認が得られれば、その実現性への期待は高まると考えられる。

2015 年 12 月期の連結業績は事業収益が 450 百万円、営業損失が 4,300 百万円となる見通し。事業収益は主にムコ多糖症 VI 型治療薬「ナグラザイム」の販売収入となる。一方、HGF 遺伝子治療薬や NF- $\kappa$ B デコイオリゴの治験費用等を中心に研究開発費が約 3,500 百万円となる見通し。2017 年以降も研究開発負担が継続する見込みで、黒字化は 2019 年頃を目標としている。このため、短期的には事業資金調達に伴う株式価値の希薄化が想定されるが、現在の主力開発パイプラインが進捗すれば、現在 110 億円強にとどまっている時価総額も見直される局面が出てくるだろう。

## Check Point

- ・重症虚血肢向けプロジェクトは最も注目される開発パイプライン
- ・臨床試験段階のパイプラインが複数あり研究開発負担が重い
- ・適時適切な資金調達を実施していく意向



## 会社概要

### 現在の事業ステージは研究・開発期間としての位置付け

#### (1) 会社沿革

大阪大学医学部において1984年に発見されたHGF（肝細胞増殖因子）遺伝子の研究成果などをもとに、1999年に設立された創薬ベンチャーである。2002年9月には東京証券取引所マザーズ市場に大学発の創薬ベンチャーとしては初めて株式上場を果たした。HGFは、肝臓のみならず、血管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成、再生に効果があることがわかり、創業者であり同大学の当時助教授でもあった森下竜一（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）が、血管新生作用に着目して、末梢性血管疾患分野の治療薬として開発を進めてきたのが、現在の主力開発品となっているHGF遺伝子治療薬となる。

2001年に国内販売に関して、第一製薬（株）（現 第一三共<4568>）と提携を結び、治験を進めながら2008年に重症虚血肢を有する閉塞性動脈硬化症及びパーヴァ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。現在は医師主導臨床研究によって、国内で再度承認申請を行うべく取り組みを進めているほか、2014年10月からはグローバル治験も開始している。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年に国内市場での独占的販売権許諾契約を締結している。



## アンジェス MG

4563 東証マザーズ

2015年12月18日（金）

また、もう1つの主力開発品である核酸医薬品のNF- $\kappa$ 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>と契約を締結している。また、2012年よりメディキットとNF- $\kappa$ 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及び臨床試験を行っており、現在は国内での製造販売承認申請に向けた準備を進めている段階にある。

その他、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リン ファーマシューティカル社から取得し、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病変（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、連結子会社としては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- $\kappa$ 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
2011年9月	アンジェス ヘルスケアサイエンス（株）（連結子会社）を設立
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遺伝子医薬に特化していること、及び「難治性疾患」や「治療法がない疾患」を対象として開発を進めていることにある。また、こうした事業方針と合致する他社開発品や大学等の研究機関からの導入も一部あり、国内で開発を行っている。

同社は開発に特化した会社で、原薬の製造や治験等については外部に委託、「ナグラザイム」を除き販売についても開発品、地域ごとに大手製薬メーカーと販売許諾契約を締結している。このため連結従業員数は2015年6月末時点で58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、自社開発品について上市実績はない。



アンジェス MG

4563 東証マザーズ

2015年12月18日（金）

同社のビジネスモデルとしては、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、概ね1～2年の審査期間を経て問題が無ければ承認、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計画

重症虚血肢向けプロジェクトは最も注目される開発パイプライン

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

2015年12月18日（金）

※ 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

## (1) HGF 遺伝子治療薬

### ○重症虚血肢向け

HGF（肝細胞増殖因子）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。

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 2016 年内に行うことを目標としている。

一方、海外では第 3 相のグローバル治験を 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 3 年程度かけて実施していく予定となっており、2018 年頃に治験を終了し、まずは米国、その後欧州で承認申請を行う予定。

販売提携先は田辺三菱製薬で日本、米国における販売権許諾契約を締結している。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。

### ○リンパ浮腫向け

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」が動物実験において確認されたことから、2013 年 10 月より原発性リンパ浮腫を対象として、POC※の確認を目的とした第 1/2 相の臨床試験を行っている。この試験の費用の一部には NEDO 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。同社では第 1/2 相の臨床試験治験を終了後に、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）に移行する予定となっている。

## (2) NF- $\kappa$ B デコイオリゴ（核酸医薬）

NF- $\kappa$ B（エヌ・エフ・カップ・ビー）デコイオリゴ核酸は、核酸合成機で作成される比較的短い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- $\kappa$ B」に対する特異的な阻害剤となる。この NF- $\kappa$ 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- $\kappa$ 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。



2015年12月18日（金）

### ○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向けとなる。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月より第3相の臨床試験が国内でスタートしている。症例数は約200症例となり、試験期間としては約1年強を予定している。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- $\kappa$ 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。国内で結果を出したのちに、さらに市場規模が大きい海外への展開が期待される。

### ○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も終わっており、現在は各患者のデータ回収を行っている段階にある。2016年中には承認申請を行いたい意向で、順調に進めば2017年中の承認、上市が見込まれる。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シェアを獲得する可能性は十分あるとみられる。

### ○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有効な可能性がある新しいタイプの腰痛治療薬として期待されている。国内において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月に契約を解消している。相手先の開発方針の変更によるもので、NF- $\kappa$ B デコイオリゴの安全性に関する問題が原因ではない。これを受けて、同社でも同領域での開発を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に加えて、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一致するなど、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く、椎間板変性の進行抑制や修復を促す効果が期待できるNF- $\kappa$ B デコイオリゴの開発動向が注目される。開発スケジュールとしては2017年より米カリフォルニア大学にて第1/2相の臨床試験を実施しPOCを確立していく。

### (3) 子宮頸部前がん病変治療ワクチン（CIN治療ワクチン）

韓国のバイオリダーズ社から導入したCIN治療ワクチンは、子宮頸がん前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ステージの患者を投与対象とした治療薬であることにある。

現在は東京大学医学部附属病院にて、医師主導型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。同附属病院では更に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により実施）、同結果を待つて次の開発ステージに移行する可能性がある。

## ■業績動向

### 臨床試験段階のパイプラインが複数あり研究開発負担が重い

#### (1) 2015年12月期第3四半期累計業績

同社の業績は上場来の赤字を続けている。創業ベンチャーであり、まだ自社開発品の上市がなく臨床試験段階のパイプラインが複数ある中で、研究開発負担が重くなっていることがその要因となっている。10月30日付で発表された2015年12月期第3四半期累計（2015年1月～9月）の連結業績は、事業収益が前年同期比13.6%増の320百万円、営業損失が3,025百万円（前年同期は2,048百万円の損失）となった。

#### 2015年12月期第3四半期累計業績（連結）

（単位：百万円）

	14/12期3Q累計		15/12期3Q累計		
	実績	対売上比	実績	対売上比	前年同期比
事業収益	281	-	320	-	13.6%
売上原価	108	38.5%	127	40.0%	17.8%
研究開発費	1,709	606.4%	2,584	807.3%	51.2%
販管費	512	181.9%	633	198.0%	23.6%
営業利益	-2,048	-	-3,025	-	-
経常利益	-2,121	-	-2,954	-	-
特別損益	37	-	-43	-	-
四半期純利益	-2,090	-	-3,007	-	-

事業収益の内訳は、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」が前年同期比12.9%増の250百万円と増加したほか、提携企業からの契約一時金など研究開発事業収益が同15.9%増の69百万円といずれも増収となった。「ナグラザイム」に関しては投与対象人数6名と前年と変わらないものの、対象者の成長とともに投与量も増加していることが増収要因となっている。また、契約一時金に関しては重症虚血肢向けHGF遺伝子治療薬の国内での独占的販売権許諾契約を6月に締結しており、若干の増収となっている。

一方、研究開発費は前年同期比51.2%増の2,584百万円と大幅に増加した。HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）のグローバル臨床試験が本格化していることや、NF-κBデコイオリゴ（アトピー性皮膚炎）の第3相臨床試験が開始されたことなどが主因となっている。また、販管費は前年同期比23.6%増の633百万円となったが、寄付講座への寄付金、支払手数料、人件費などが増加要因となっている。

#### (2) 2015年12月期業績見通し

第3四半期決算の発表と同時に2015年12月通期の業績についての業績修正を行っている。事業収益は450百万円と期初計画と変わらないものの、営業損失が4,300百万円と期初計画から1,500百万円縮小する格好となった。研究開発費の見込み額が期初計画の5,000百万円から3,500百万円へ減少することが要因となっている。今期に見込んでいた臨床試験や非臨床試験に使用するHGF遺伝子治療薬及びNF-κBデコイオリゴの原薬製造の完了時期が来期にずれ込んだこと、また、CRO等の外部委託先への支払いの一部が来期以降にずれ込んだことに伴うもので、影響額は半々程度とみられる。また、今回の研究開発費のずれ込みが同社の開発スケジュールに及ぼす影響はないとしている。

なお、事業収益が前期比で50.5%減収となるが、これは前期に田辺三菱製薬からHGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）の米国向け独占的販売権許諾契約にかかる契約一時金収入500百万円を計上した反動減によるものとなっている。

**2015年12月期業績見通し（連結）**

（単位：百万円）

	14/12期		15/12期				
	実績	対売上比	期初計画	修正計画	対売上比	前期比	計画比
事業収益	909	-	450	450	-	-50.5%	0.0%
研究開発費	2,338	257.0%	5,000	3,500	777.8%	49.6%	-
営業利益	-2,273	-	-5,800	-4,300	-	-	-
経常利益	-2,395	-	-5,800	-4,250	-	-	-
当期純利益	-2,369	-	-5,800	-4,300	-	-	-

**適時適切な資金調達を実施していく意向**
**(3) 財務状況**

2015年9月末の財務状況を見ると、総資産は前期末比2,013百万円減少の6,169百万円となった。第三者割当増資の実施に伴い735百万円を調達したが、当期事業費用への充当に伴い、現預金が同2,638百万円減少した。また、NF-κB デコイオリゴの原薬製造にかかる費用や臨床試験にかかる費用を前払いしたことに伴い、前渡金が同554百万円増加したほか、HGF 遺伝子治療薬の製造に伴い、原材料が380百万円増加した。

一方、負債合計は前期末比267百万円増加の717百万円となった。「ナグラザイム」の仕入れやHGF 遺伝子治療薬の原薬にかかる費用等で買掛金が同253百万円増加したことが主因。また、純資産は前期末比2,281百万円減少の5,452百万円となった。第三者割当増資に伴い、資本金、資本剰余金が各367百万円増加したが、当四半期純損失3,007百万円の計上により利益剰余金が減少した。

**連結貸借対照表**

（単位：百万円）

	12/12期	13/12期	14/12期	15/12期 3Q	増減
流動資産	1,342	3,304	7,593	5,561	-2,032
（現預金）	354	1,795	6,017	3,378	-2,638
固定資産	917	599	589	608	19
総資産	2,260	3,904	8,183	6,169	-2,013
（有利子負債）	-	-	-	-	-
負債合計	521	360	449	717	267
株主資本	1,358	3,358	7,577	5,305	-2,272
資本金	9,848	11,552	14,847	15,214	367
資本剰余金	8,159	9,863	13,157	13,525	367
利益剰余金	-16,648	-18,058	-20,427	-23,435	-3,007
純資産合計	1,738	3,543	7,734	5,452	-2,281

前述したとおり、同社は現在、研究・開発ステージにあり、開発パイプラインでの新たな販売契約締結に伴う一時金などの収入がない限りは、研究開発負担に伴い四半期ベースで10億円強程度の損失が続くものとみられる。9月末で現預金が3,378百万円であり、このままの状況で推移したとすれば2016年中に資金が底をつくことになり、経営リスクが顕在化することとなる。こうした事態に備えるため、同社では今後も株式市場やマーケット状況を勘案のうえ、時期や手法を含めて適時適切な資金調達を実施していく意向を示している。

なお、同社は9月に国内外の機関投資家向けを対象とした新株式発行及び株式売出し（約30億円を調達）を発表したが、2週間後には中止を決定している。機関投資家との対話の中で、開発プロジェクトがさらに進展した段階（製造販売承認申請など）で投資を行いたいとの意見が多く出たことが主な理由だ。2016年には国内で3つの開発プロジェクトで製造販売承認申請が見込まれているため、その状況もにらみながら資金調達を検討していくことになりそうだ。



2015年12月18日（金）

## ■長期ビジョン

### HGF 遺伝子治療薬のグローバル臨床試験がスタート

同社にとって最重要プロジェクトである HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）のグローバル臨床試験が 2014 年 10 月よりスタートしたほか、国内事業の成長ドライバーとして期待される 3 つの開発プロジェクトが 2016 年に製造販売承認申請するところまで見えてきたことで、現在の事業ステージは研究・開発ステージの最終段階に入ったとの認識である。こうしたなかで、同社は 10 年後の会社のあるべき姿として「2025 年ビジョン」を策定している。

同ビジョンの骨子は 3 点あり、第 1 に、遺伝子医薬のグローバルリーダーとして成長すること、第 2 に治療法がいない疾病に対する新薬を実用化していくこと、第 3 に売上高 500 億円以上を目指すこと、を掲げている。また、業績の黒字化時期としては 2019 年を目標としている。黒字化要因としては、HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）の国内販売と、米国での販売承認に伴うマイルストーン収入、及び NF- $\kappa$ B デコイオリゴ（アトピー性皮膚炎）の国内販売などが挙げられる。研究開発費用に関しては 2015～16 年がピークとなりそうで、その後は新たな開発プロジェクトが立ち上がらない限りは漸減傾向が続くこととなる。このため、期間損失額も 2017 年以降は縮小トレンドに入り、2019 年に黒字に転じることになる。

なお、米国で HGF 遺伝子治療薬（重症虚血肢）の開発に成功した場合は、既に受領した契約一時金の他、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 億円程度となることが見込まれる。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となっており、その動向が試金石となろう。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、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こととなるだろう。

#### ディスクレームー（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・表示したのですが、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