

アンジェス MG

4563 東証マザーズ

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

2017年1月10日（火）

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

[企業情報はこちら >>>](#)

■ 2017年12月期は、研究開発費の減少を主因に営業損失が20億円程度縮小予定

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。

開発パイプラインの事業の進捗状況として、重症虚血肢向けの HGF 遺伝子治療薬については、米国で新たな第3相試験開始に向けて米スタンフォード大学と開発戦略を共同で構築している段階にあり、2017年春頃に今後の開発スケジュールを発表する予定となっている。一方、国内では医師主導型臨床試験で目標症例数の6例に対して4例の投与が完了しており、残り2例の被験者の登録待ちの状況で、早ければ2017年前半にも臨床試験が完了し、結果が良ければ製造販売承認申請を行うこととなる。

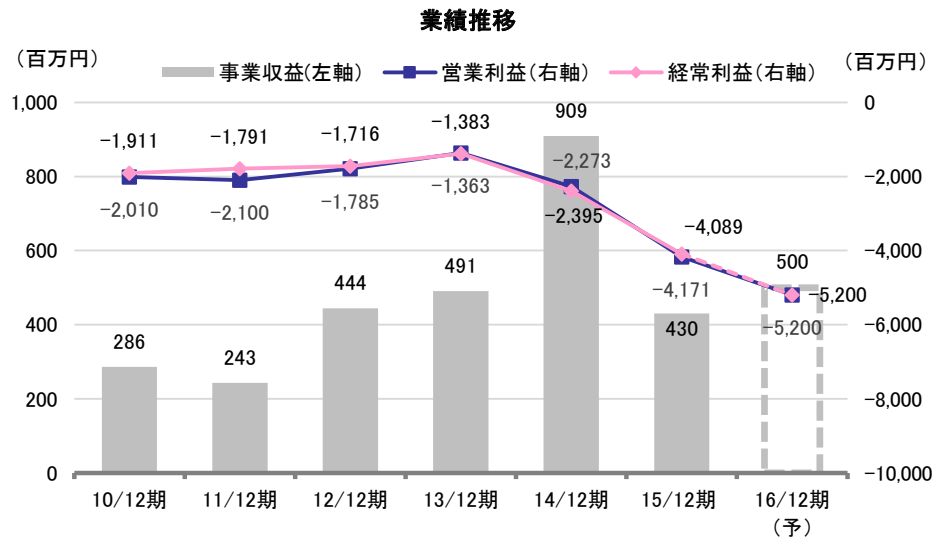
一方、NF- κ B（エヌ・エフ・カッパ・ビー）デコイオリゴについては、アトピー性皮膚炎を対象にした臨床試験の結果、統計的有意差が得られなかったことを7月に発表し、現在は今後の方針を検討中である。また、メディキット<7749>との共同開発で臨床試験を進めていた薬剤塗布型バルーンカテーテルについては、12月に統計的有意差が得られなかったとの臨床試験結果を発表し、製造販売承認の申請を断念すると同時に共同開発契約も終了した。

また、同社が保有する子宮頸部前がん治療ワクチン（以下、CIN治療ワクチン）の独占的開発・製造・販売権については、2016年12月に森下仁丹<4524>に再許諾する契約を締結し、契約一時金を得ている。今後は森下仁丹が主導して開発、上市を目指していくことになる。また、高血圧治療のDNAワクチンについては、オーストラリアにて2017年中頃に第1相の臨床試験を開始するべく準備を進めている段階にある。

2016年12月期の業績は事業収益が前期比16.2%増の500百万円、営業損失が5,200百万円（前期は4,171百万円）となる見通し。森下仁丹とのライセンス契約一時金を第4四半期に計上することで事業収益は増収となるが、研究開発費の増加に伴い営業損失は拡大する。2017年12月期は、研究開発費の減少を主因に営業損失は20億円程度縮小することが予想される。現預金は2016年12月期第3四半期末で1,688百万円となっており、今後も研究開発費用が継続することを考えると何らかの資金調達が必要となるため、株式価値の希薄化が生じるリスクがある点には留意する必要がある。

■ Check Point

- ・ 主要パイプラインは、遺伝子治療薬、核酸医薬、DNAワクチンなど
- ・ 新規開発に関しては、「キメラデコイ」で進行
- ・ Vicalに出資・事業提携でDNAワクチン分野を第3の柱へ



■ 会社概要

現在開発ステージだが、開発品の上市で利益化も視野に

(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。

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ており、代わりに田辺三菱製薬<4508>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)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年に塩野義製薬と独占販売権許諾契約を締結した。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を進めてきたが、2016年12月に臨床試験の結果において、既存のバルーンカテーテル群と比較して、統計的有意差が得られなかったことで、共同開発を終了している。

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(以下、バイオマリン)から取得し、2008年より販売を開始したほか、2013年に韓国バイオリダーズから導入したCIN治療ワクチンに関して、2016年12月に森下仁丹に独占的開発・製造・販売権の再許諾を行う契約を締結している。



アンジェス MG

4563 東証マザーズ

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

2017年1月10日（火）

なお、連結子会社は2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
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ミディア（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-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（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 パ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3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
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

(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、上市後も自社販売は行わないことを基本戦略とする。このため連結従業員数は、2016年6月末時点で60名と小規模となっている。なお、現在商品として販売しているもの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、開発の過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、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なければ承認、上市といった流れとなる。



アンジェス MG

4563 東証マザーズ

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

2017年1月10日（火）

同社は現在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 遺伝子治療薬や NF-κ B 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抜粋

■主要パイプラインの開発状況

主要パイプラインは、遺伝子治療薬、核酸医薬、DNA ワクチンなど

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、NF-κ B デコイオリゴ、高血圧 DNA ワクチンなどがある。2016 年の開発計画として、期初段階では国内で 3 つのパイプライン（重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬、アトピー性皮膚炎向け NF-κ B デコイオリゴ、薬剤塗布型バルーンカテーテル）について製造販売承認申請の可能性を見込んでいたが、重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬に関しては症例登録の進捗が遅れ、現在も臨床試験が続いている。また、残り 2 つのパイプラインについては臨床試験の結果、統計的有意差が得られなかったことで承認申請を断念し、開発方針を改めて検討することになるなど、順調に進んだとは言えない 1 年となったが、CIN 治療ワクチンで森下仁丹と再許諾契約を 12 月に締結したほか、高血圧 DNA ワクチンについても、同分野の先進企業である米 Vical へ出資を行い、12 月に戦略的事業提携契約を締結、開発体制を構築するなど、進捗したパイプラインもここにきて出てきている。各パイプラインの概要と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	2015	2016	2017	2018	2019	提携先	市場規模
HGF 遺伝子治療薬	重症虚血肢	日本	医師主導臨床研究実施中		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
		欧米	グローバル第3相試験中止			米国で2017年内に第3相試験開始予定	承認申請・上市		大
	リンパ浮腫	日本	第1/2相試験（原発性）		次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等			-	中
NF-κ B デコイオリゴ（軟膏剤）	アトピー性皮膚炎	日本	治療で統計的有意差得られず今後の開発方針を検討					塩野義製薬（全世界）	小～中
NF-κ B デコイオリゴ（薬剤塗布型バルーンカテーテル）	血管再狭窄（透析シャント静脈狭窄）	日本	治療で統計的有意差得られず、メディキットとの契約解消今後の開発方針を検討					-	小
NF-κ B デコイオリゴ	椎間板性腰痛症	米国			2017年内に第1/2相試験を実施予定	次の開発ステージへ移行、ライセンス契約等		-	大
DNA 治療ワクチン	高血圧症	世界			2017年内に第1相試験をオーストラリアで実施予定			-	大
CIN 治療ワクチン	子宮頸がん前がん病変	日本	医師主導臨床研究実施中		森下仁丹に開発・製造・販売権を再許諾先駆け審査指定制度を活用し、早期承認目指す			森下仁丹（日・米・中・英）	大

出所：会社資料よりフィスコ作成

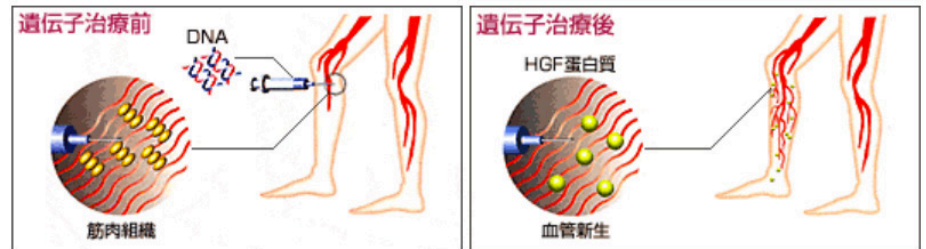
(1) HGF 遺伝子治療薬

a) 重症虚血肢

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開発を進めている。なかでも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、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。

| 注射によるHGF遺伝子治療(末梢性血管疾患)



出所：会社 HP

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 例目を開始し、2016 年 9 月に 4 例目の投与が開始されている）、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行う予定となっている。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は「痛み、潰瘍の改善」を挙げている。現在、残り 2 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。最短で 2017 年第 2 四半期（2017 年 4 月～6 月）に申請できる可能性はあるが、臨床研究のスクリーニング条件に合致する被験者が見つかりにくいことから、残り 2 例の投与開始までに時間を要する可能性はある。ただ、今までのペースでいけば、遅くとも 2017 年内には 6 例のデータが集まり、その結果が判明するものと予想される。

一方、海外では 2014 年 10 月から実施してきた第 3 相のグローバル臨床試験を 2016 年 6 月に中止し、開発戦略の変更を発表している。開発にかかる期間と費用を削減し、できるだけ早く HGF 遺伝子治療薬の実用化を進めることが目的となっている。グローバル臨床試験では約 500 例の重症虚血肢患者を対象にプラセボとの比較試験を行い、主要評価項目を「下肢の切断・死亡に至るまでの期間」とし、観察期間を 1 年半としていた。ただ、重症患者においてプラセボとの比較試験を行うことや、観察期間が長期にわたることから被験者が計画どおり集まらず（臨床試験開始から 1 年半余りの間で約 50 症例）、500 症例を完了するまでには相当の時間を要するものと判断し、開発戦略を変更することを決断した。

今後の開発戦略については、2016 年 8 月より米スタンフォード大学と共同で検討を進めており、2017 年春には概要が示される見通しだ。新しい治験デザインでは、主要評価項目を国内と同じく「痛み、潰瘍の改善」とし、プラセボとの比較試験は行わず、観察期間の短縮や症例数も小規模で行う方向で検討している。従来のグローバル治験では総額で 90～100 億円規模の治験費用を想定していたが、新たな治験デザインでは大幅に費用が圧縮できることになる。治験の開始時期は早ければ 2017 年内を目標としている。

2017年1月10日（火）

※ 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証し、治療コンセプトの正しさを確認すること。

b) 原発性リンパ浮腫

原発性リンパ浮腫向けでは、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ており、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、2016年4月に最後の症例登録が完了している。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。2017年4月に臨床試験が終了し、データ解析を行ってPOCが確認されれば、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）に移行することになる。なお、リンパ浮腫で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加傾向にある。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。

新規開発に関しては、「キメラデオイ」で進行

(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。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。

a) アトピー性皮膚炎（軟膏剤）

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第3相試験を国内で実施してきたが、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とする試験結果が2016年7月に発表された。このため、同疾患を対象とした開発は断念したが、試験結果の詳細な解析により癩癩（びらん）の症状に対しては効果が高いとのデータが得られており、この症状に絞った開発を進めていく可能性が出てきている。ただ、市場規模はアトピー性皮膚炎全体より小さくなる。

b) 椎間板性腰痛症（注射投与）

椎間板性腰痛症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タイプの腰痛治療薬として開発を進めている。現在、米国で第1/2相試験を開始すべく準備を進めており、2017年初旬にFDA（米国食品医薬品局）とプレミーティングを行い、第2四半期に治験申請を行う予定にしている。臨床試験の結果が良ければライセンスアウトの交渉を進めていく予定だ。

c) 血管再狭窄予防（薬剤塗布型バルーンカテーテル）

2016年12月に、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結果が発表された。人工透析に伴う透析シャント静脈狭窄病変を有する175症例を対象に、既存のバルーンカテーテルとの比較試験を行ってきたが、主要評価項目である静脈狭窄治療部位の一時開存持続時間（再狭窄により再度治療が必要となるまでの期間）において、持続時間の延長が認められたものの統計的有意差を得るまでには至らなかった。この結果を受け、製造販売承認申請を断念すると同時に、メディキットとの共同開発契約を終了した。

ただ、層別解析において糖尿病合併患者においては持続時間でより明確な差が明らかになっていることから、別の提携先が見つければ糖尿病合併患者を対象とした開発を進めていく可能性は残されている。

d) 改良型デコイ「キメラデコイ」の製品開発を開始

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、格段に高い炎症抑制効果が動物実験で明らかとなっているほか、生体内での安定性に優れ、かつ生産コストも低くなるといった特徴を持つ。炎症抑制効果が高くなるのは、「キメラデコイ」がSTAT6とNF- κ Bという炎症に関わる2つの重要な因子を同時に抑制する働きを持つためだ。生産コストについては薬剤の分子量に依存するが、「キメラデコイ」はNF- κ Bデコイオリゴと比較して分子量が3～4割少ないため、生産コストも低くなるようだ。

同社では現在、臨床試験の実施に必要な前臨床試験を複数の疾患を対象に行っている。具体的な対象疾患としては、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）などの治療薬の開発を目指していく考えだ。なお、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」で開発を進めていくことになる。

また、同社は「キメラデコイ」を疾患部位・細胞に効果的に送達するためのDDS（ドラッグデリバリーシステム）技術に関して、大阪大学と共同研究契約を2016年7月に締結している。新規DDSの実用化に向けた適応症の検討と、最適な製剤の開発を目的としている。「キメラデコイ」とDDSを組み合わせることで、薬効の向上が期待される。

Vicalに出資・事業提携でDNAワクチン分野を第3の柱へ

(3) その他の開発パイプライン

a) 高血圧DNAワクチン

DNA治療ワクチンの1つとして、高血圧DNAワクチンの開発を進めている。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となる。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ものとなる。

高血圧治療薬の市場規模は国内だけでも8,000億円以上、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ため、発展途上国では医療経済上の問題から使用は限定的となっている。一方、同社が開発するDNAワクチンは1回の治療で長期間の効果が期待され、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。同社では2017年の中頃に第1相試験をオーストラリアで開始すべく、準備を進めている。

2017年1月10日（火）

■主要パイプラインの開発状況

なお、DNA ワクチンに関しては出資先である米 Vical と 2016 年 12 月に戦略的事業提携契約を締結している。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ことが目的となっている。Vical は DNA ワクチンに関して長年の経験と広範な知識・ノウハウを持ち、製造設備も保有している。同社では今後、Vical と DNA ワクチン分野での研究開発、製造、薬事などを対象に幅広く事業協力を進めていく予定で、共同研究開発等も視野に入れている。

なお、高血圧 DNA ワクチンについては、犬慢性心不全を対象とした動物用医薬品としての開発も行っている（大日本住友製薬〈4506〉の子会社、DS ファーマアニマルヘルス（株）と 2015 年 10 月に共同開発契約締結を発表）。

b) CIN 治療ワクチン（子宮頸部前がん病変治療ワクチン）

韓国のバイオリーダースから導入した 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。

同社は 2016 年 12 月、森下仁丹に CIN 治療ワクチンの独占的開発・製造・販売権を再許諾する契約を締結しており、今後は森下仁丹が開発を行う。森下仁丹に再許諾した背景としては、森下仁丹でも乳酸菌 *L.casei* の研究を行っていることや、製剤化に必要なシームレスカプセル技術を持っていることなどが挙げられる。特に、シームレスカプセルは腸内で溶解するため、高い薬効が期待される。

なお、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、2017 年春にも終了する見込みとなっている（厚生労働省からの補助金を活用）。

■業績動向

2016 年 12 月期は、期初計画の事業収益を上方修正、営業損失縮小との見通し

(1) 2016 年 12 月期の業績見通し

同社は 2016 年 12 月 6 日付で 2016 年 12 月期の業績修正を発表した。事業収益は期初計画を 100 百万円上回る 500 百万円となり、営業損失は 1,200 百万円縮小の 5,200 百万円となる見通しだ。事業収益の修正要因は、12 月に森下仁丹とライセンス契約を締結したことによる契約一時金の収入増による。一方、損益面では重症虚血肢を対象とした HGF 遺伝子治療薬のグローバル治験の中止や、NF- κ B デコイオリゴを用いた 2 つのパイプラインの製造販売承認申請の断念による関連費用の減少などで、研究開発費が当初計画よりも減額されること、及び契約一時金の増加等が要因となっている。

事業収益の内訳を見ると、商品売上（ナグラザイム）は前期実績 350 百万円から微減の 340 百万円となる見通し。一方、研究開発事業収益は前期 80 百万円から今期は 160 百万円程度が見込まれる。CIN ワクチンの契約一時金収入の計上が増収要因となる。また、営業損失は前期比で 1,029 百万円拡大するが、主因は臨床試験費用を中心とした研究開発費の増加によるものとなっている。

2016年12月期連結業績の見通し

(単位：百万円)

	15/12 期		16/12 期		
	実績	期初計画	修正計画	前期比	期初計画比
事業収益	430	400	500	+69	+100
研究開発費※	3,532	5,500	4,500	+967	-1,000
営業利益	-4,171	-6,400	-5,200	-1,029	+1,200
経常利益	-4,089	-6,400	-5,200	-1,111	+1,200
親会社株主に帰属する 当期純利益	-4,143	-6,400	-5,200	-1,057	+1,200

※ 2016 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

(2) 2017年12月期の見通し

2017 年 12 月期の事業収益は、商品売上高は若干の増収が見込まれるのに対して、研究開発事業収益については流動的となる。一方、研究開発費については臨床試験費用を中心に 20 億円程度減少する見込みとなっており、営業損失額も同程度分の縮小が見込まれる。

2017 年の開発パイプラインの進捗では、国内の重症虚血肢向け HGF 遺伝子治療薬の臨床研究が残り 2 例と最終段階に入っており、結果が良好であれば年内にも製造販売承認申請を行う可能性がある。また、米国での新たな治験デザインによる第 3 相試験も、2017 年内には開始できるものと予想される。その他、高血圧 DNA ワクチンの第 1 相試験を 2017 年中頃に開始する予定のほか、CIN 治療ワクチンについては 2017 年春頃に臨床研究が終了する見込みで、その結果が目玉される。

(3) 財務状況

2016 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 598 百万円増加の 5,350 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発行と行使によって 4,817 百万円の入金があったが、事業費用への充当や DNA ワクチン事業の強化・推進を目的とした米 Vical への出資により、現預金が 385 百万円減少した。また、NF- κ B デコイオリゴや高血圧 DNA ワクチンの原薬製造に伴い原材料及び貯蔵品が 388 百万円増加した。固定資産では、Vical への追加出資に伴い投資有価証券が 549 百万円増加した。

一方、負債合計は前期末比 79 百万円減少の 451 百万円となり、主に買掛金が 57 百万円減少した。また、純資産は前期末比 678 百万円増加の 4,899 百万円となった。新株予約権の行使に伴い資本金及び資本剰余金がそれぞれ 2,408 百万円増加したが、親会社株主に帰属する四半期純損失 3,823 百万円の計上により利益剰余金が減少した。なお、累積の利益剰余金損失額は 28,394 百万円となっている。

第 3 四半期末時点の現預金は 1,688 百万円となっているが、今後も開発費が先行するため株式市場から資金調達を行う可能性があり 1 株当たりの株主価値が希薄化するリスクがある点には留意しておく必要がある。なお、同社は期間損失が続かなかつて財務状況も厳しい状況にあることから、2016 年 12 月期第 2 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

(単位：百万円)

	13/12期	14/12期	15/12期	16/12期 3Q	増減額
流動資産	3,304	7,593	4,242	4,282	+39
(現預金)	1,795	6,017	2,074	1,688	-385
固定資産	599	589	509	1,068	+558
総資産	3,904	8,183	4,751	5,350	+598
負債合計	360	449	530	451	-79
(有利子負債)	-	-	-	-	-
純資産合計	3,543	7,734	4,221	4,899	+678

■長期ビジョン

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が、現在の開発パイプラインの進捗状況によって変わる可能性がある。特に、米国で重症虚血肢治療薬の開発に成功した場合は、100億円前後のマイルストーン収益（既に受領した契約一時金含む）を得られる見通しで、今後の開発動向が注目される。

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