

COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

|| 企業調査レポート ||

アンジェス

4563 東証グロース市場

[企業情報はこちら >>>](#)

2022年5月31日(火)

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. 米アイガー希少遺伝性疾患治療薬「ゾキンヴィ」に関する国内独占販売契約を締結 | 01 |
| 2. 主要開発パイプラインの動向 | 01 |
| 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 |
| ■ 「ゾキンヴィ」の独占販売契約締結について | 05 |
| ■ 主要開発パイプラインの動向 | 07 |
| 1. 新型コロナウイルス感染症予防ワクチン及び治療薬 | 08 |
| 2. HGF 遺伝子治療用製品 DNA | 11 |
| 3. NF- κ B デコイオリゴ | 13 |
| 4. 高血圧 DNA ワクチン | 15 |
| 5. Emendo のゲノム編集技術 | 16 |
| ■ 業績動向 | 17 |
| 1. 2022年12月期第1四半期の業績概要 | 17 |
| 2. 2022年12月期の業績見通し | 18 |
| 3. 財務状況について | 19 |
| ■ 今後の成長戦略 | 20 |

■ 要約

希少遺伝性疾患治療薬「ゾキンヴィ」の国内での独占販売契約を締結

アンジェス <4563> は、1999年に設立された大阪大学発のバイオベンチャー。遺伝子医薬を中核とした開発を進めており、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。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入、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) を子会社化した。

1. 米アイガーと希少遺伝性疾患治療薬「ゾキンヴィ」に関する国内独占販売契約を締結

2022年5月10日付で、同社は米バイオ医薬品企業の Eiger Bio Pharmaceuticals Inc. (以下、アイガー) と、ハッチンソン・ギルフォード・プロジェクトリア症候群 (以下、HGPS) とプロジェクトロイド・ラミノパチー (以下、PL) ※1 の適応症の治療薬である「ゾキンヴィ (一般名: ロナファルニブ)」※2 について、日本における独占販売契約を締結した。今後、同社が日本の薬事承認取得を担当し、承認取得後に製品を販売していくことになる。HGPS 及び PL は患者数が世界でも合わせて 600 人程度と極めて少なく致死性の高い遺伝的早老症で、「ゾキンヴィ」は死亡率の減少と生存期間延長効果のある治療薬として米国で販売承認されている。同社は米国での臨床試験データを援用することで販売承認申請を行う予定となっている。薬価や投与患者数次第ではあるものの、国内での売上高は年間数億円程度になるものと予想される。また、同社は薬事承認取得と並行して、2021年から新生児のオプションスクリーニング (希少遺伝性疾患検査事業) を開始したアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (以下、ACRL) において、これら疾患の検査を実施する準備も進めていくことにしている。

※1 HGPS や PL は遺伝子の突然変異により発症し、平均 14.5 歳までに心臓病 (動脈硬化症) で死亡するのが一般的とされ、病気の症状としては、深刻な成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、骨格形成不全、心血管系の衰えを伴う全身性動脈硬化の促進、衰弱性の脳卒中が含まれる。日本でも難病指定されており、HGPS は約 10 人の患者が確認されている。

※2 HGPS の死亡リスク低減、プロセシング不全性早老性 PL の治療薬として、2020 年 11 月に米国で承認された。臨床試験の結果では HGPS 患者において死亡率を 60% 減少させ、平均生存期間を 2.5 年延長させることができたとしている。開発元はメルクでアイガーはメルクから全世界での独占的権利をライセンスされた。

2. 主要開発パイプラインの動向

主要開発パイプラインについては、前回レポート (2022年3月23日発行) から大きな進捗はない。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は、高用量製剤での第 1/2 相臨床試験の結果が早ければ 2022 年夏頃に判明する見通しで、内容が良好であれば第 2/3 相臨床試験、第 3 相臨床試験に進むべく PMDA と協議を進めていくことになる。ただ、大規模な臨床試験を行う場合は多額の資金が必要となるため、国による補助金が下りることが前提となる。一方、カナダの Vasomune Therapeutics (以下、Vasomune) と共同開発中の治療薬「AV-001」 (中等度から重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象) は、2022 年 1 月より前期第 2 相臨床試験を米国で開始 (南米でも行う予定)、2022 年内の後期第 2 相臨床試験入りを目指している。

要約

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 相臨床試験は 2021 年末に予定症例数の患者登録が完了しており、2024 年の本承認取得を目指している。また、米国で実施している後期第 2 相臨床試験も順調に被験者登録が進んでいる。椎間板性腰痛症を適応症とした NF- κ B デコイオリゴ DNA については、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中で、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も、第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験のデータを分析して今後の開発戦略を策定していく計画となっている。また、米子会社の Emendo では独自技術である先進的なゲノム編集ツール「OMNI (オムニ) Platform」を用いて、希少遺伝性疾患である ELANE (好中球エラスターゼ遺伝子) 関連重症先天性好中球減少症 (以下、SCN) を対象とした臨床試験の開始に向けた協議を FDA と進めているほか、複数企業と「OMNI Platform」のライセンス提供に向けた交渉を進めている。

3. 業績動向

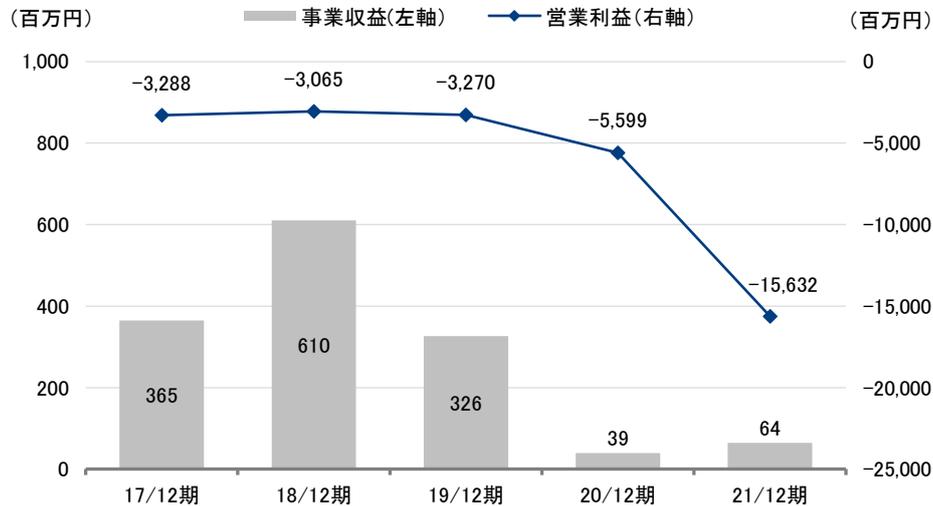
2022 年 12 月期第 1 四半期の売上高は前年同期比 33.3% 増の 15 百万円、営業損失は 3,543 百万円 (前年同期は 3,628 百万円の損失) となった。売上高はオプションスクリーニング検査の手数料収入を主に計上した。営業損失は新型コロナウイルス感染症ワクチンの臨床試験費用が減少したことにより前年同期から若干縮小した。2022 年 12 月期の業績見通しは、開発プロジェクトの状況によって研究開発費が変動することなどから現時点では未定としているが、研究開発費については約 100 億円と前期並みの水準を見込んでいる。ワクチン関連の開発費用は減少するものの Emendo の開発費増を見込んでいる。なお、2022 年 12 月期第 1 四半期末の現金及び預金は 15,411 百万円となっており、当面の事業活動を進めていくうえでの資金は確保されている。

Key Points

- ・新たな希少遺伝性疾患治療薬の国内独占販売契約を締結
- ・2022 年 12 月期第 1 四半期の営業損失は前年同期並みの 3,543 百万円に
- ・2022 年 12 月期も 100 億円規模の研究開発費を投下し、開発パイプラインの進展に取り組む方針
- ・治療法がない疾病分野や希少遺伝性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

要約

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 遺伝子治療用製品では、田辺三菱製薬（株）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性腰痛症を対象とした核酸医薬品であるNF- κ B 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。

会社概要

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、2020年12月から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、2018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. に出資した。また、米国の Brickell Biotech, Inc. 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。

なお、2021年4月には国内で希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所 ACRL を設立し、希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査業務を同年7月より開始している。

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-κB 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-κB 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 |
| 2021年 4月 | 国内で希少遺伝性疾患を対象としたスクリーニング検査を行う「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー」を設立 |

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

会社概要

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、その研究開発に注力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

■「ゾキンヴィ」の独占販売契約締結について

新たな希少遺伝性疾患治療薬の国内独占販売契約を締結

2022年5月10日付で、同社は米バイオ医薬品企業のアイガーと、希少遺伝性疾患である HGPS 及び PL を適応症とした治療薬「ゾキンヴィ」について、日本における独占販売契約を締結した。今後、同社が日本の薬事承認取得を担当し、承認取得後にアイガーから製品を購入し、販売していくことになる。なお、契約一時金及び開発進捗に応じたマイルストーンの支払総額は最大 150 万米ドルとなっている。

「ゾキンヴィ」の独占販売契約締結について

HGPS 及び PL は、患者数が世界でも合わせて 600 人程度と極めて少なく致死性の高い遺伝的早老症のことで、HGPS は LMNA 遺伝子の点突然変異により、ファルネシル化※された異常タンパク質であるプロジェリンが生成されることにより発症する。また、PL は LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異によりプロジェリンとは異なるファルネシル化タンパク質を生成し老化を促進する。「ゾキンヴィ」は HGPS やプロセシング不全性早老性 PL の小児及び若年成人において、核酸と強化な結合を形成するファルネシル化した欠陥タンパク質（細胞の不安定化と早期老化を惹起）の蓄積を阻害する作用を持ち、臨床試験の結果では HGPS 患者の死亡率を 60% 減少させ、平均生存期間を 2.5 年延長させることができたとしている。2020 年 11 月に米国で承認され、欧州でもアイガーが欧州医薬品庁に販売許可申請を行っており、2022 年第 2 四半期に欧州医薬品委員会の見解が得られる見込みとなっている。

※ タンパク質に行われる修飾の一種。ファルネシル化により、タンパク質の末端には疎水性のプレニル基が結合する。末端が疎水性になったタンパク質は、その疎水性の部分を細胞膜内に挿入するため、タンパク質は細胞膜（細胞の内側）につなぎ留められる。つまり、ファルネシル化されたタンパク質は、細胞の内側の細胞膜上に存在するようになる。

難病情報センターの資料によると日本における HGPS の患者数は約 10 人と極めて少ないことから、薬事承認を得るために米国の臨床試験データを援用することとしている（同臨床試験には 3 人の日本人データが含まれる）。同社は過去にも希少遺伝性疾患であるムコ多糖症 VI 型治療薬「ナグラザイム®」の独占販売契約を米 BioMarin Pharmaceutical Inc. と 2006 年 12 月に締結し、販売してきた実績がある（契約解消に伴い 2019 年 12 月期第 2 四半期で販売終了）。当時の経緯を辿ると販売契約締結後、2007 年 6 月にオーファン・ドラッグ※指定を受け、同年 8 月に米国での臨床試験データを援用して販売承認申請を行い、2008 年 3 月にスピード承認されている。「ゾキンヴィ」についても、有効な治療法がなく死亡リスクの高い疾患（平均寿命 14.5 歳）であることからオーファン・ドラッグ指定を受け、スピード承認される可能性は高いと弊社では見ている。

※ オーファン・ドラッグは希少疾病用医薬品のことで、指定基準としては患者数が 5 万人未満と少なく、治療法が未だ確立されておらず代替する医薬品がないこと、またはすでにある治療薬に対して非常に高い有効性または安全性が期待される医薬品であることなどが挙げられる。オーファン・ドラッグ指定を受けると、研究開発費用の助成金が交付されるほか、優先審査を受けることが可能となる。

なお、売上規模に関しては薬価や投与患者数次第ではあるものの、米国での販売価格を参考にすれば「ナグラザイム®」と同等かやや上回る規模になると見られる（「ナグラザイム®」のピーク時売上高は 2018 年 12 月期 382 百万円）。また、同社は薬事承認取得と並行して、新生児のオプションスクリーニングを行う ACRL において、HGPS や PL の検査を実施する準備を進めていくことにしている。

■ 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、新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬、HGF 遺伝子治療用製品、NF- κ B 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相臨床試験における予定症例数の投与を2021年12月に完了(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- κ B デコイオリゴ DNA | 米国 | - | 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) | オーストラリア | - | 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相臨床試験結果分析中(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 | - | COVID-19 | 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」 | 米国 | - | COVID-19 及び 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、米国で前期第2相臨床試験中(2022年1月～) |

出所：決算説明会資料等よりフィスコ作成

新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発は継続方針、共同開発中の治療薬「AV-001」は2022年内に後期第2相臨床試験入りをを目指す

1. 新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬

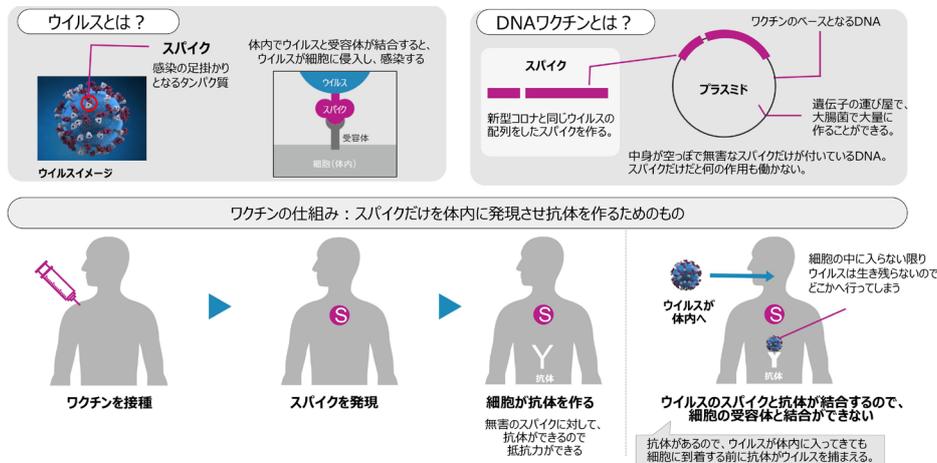
(1) 新型コロナウイルス感染症ワクチン

同社は2020年3月より大阪大学と共同でプラスミド DNA ※1 製法を用いた新型コロナウイルス感染症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、製法そのものについての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

開発状況については、2021年8月より開始した高用量製剤を用いた第1/2相臨床試験（400症例）の接種を2021年11月に完了している。現在、国際標準に準じたデータ解析を海外の専門機関で行っており、順調に進めば2022年夏頃にも試験結果が判明する見通しだ。先行品と同等程度以上の有効性が確認できれば第2/3相臨床試験、第3相臨床試験へと進むべくPMDAと協議していくことになるが、第3相臨床試験では原則3千人以上の症例数を確保することが規制当局の考え方となっているため、国の補助金が下りることが臨床試験を進めていくうえでの前提となる。

主要開発パイプラインの動向

なお、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皮内接種でも実施した。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る。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で、皮内接種で良いデータが得られれば薬剤コストの低減にもつながるため、その結果が注目される。また、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（親ワクチン）と呼ばれるものに対応したものとなり、オミクロン株等の変異株については親ワクチン承認後に改めて、臨床試験の必要性の有無等を協議していくこととなる。親ワクチンで同等程度の効果が確認できなければ、変異株対応ワクチンを開発することになるが、プラスミドに導入する遺伝子を変えるだけで対応できるため比較的短期間での開発は可能と見られる。

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）の支援を受けたほか、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きた。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）。

これら採択を受けた補助金については入金がすべて完了しており、その一部は営業外収益として2021年12月期に1,399百万円計上されている。残りの金額については前受金として貸借対照表の流動負債に計上されており、2022年12月期第1四半期末時点で5,894百万円となっている。今後、開発プロジェクトの実績報告書を関係当局に提出し、監査・承認を経て補助金等の金額が確定（補助金収入として計上）することになる。関係当局の年度末が3月となっていることもあり、5,894百万円のうち一部は2023年12月期に計上されずれ込む可能性もある。

なお、国内でのワクチンは現状、ファイザー<PFE>等の外資系企業からの調達に頼っているが、国産ワクチンの開発は必要との政府の方針のもと、2022年3月にワクチン開発推進の司令塔となる「先進的研究開発戦略センター（SCARDA）」が発足した。基礎研究から実用化に向けた開発までの戦略的な研究を国策として推進し、ワクチンの国産化を実現していくことにしている。ワクチン開発を進める同社にとっても、補助金の活用による開発を継続していくことが可能になると見られ、前向きな動きとして評価される。

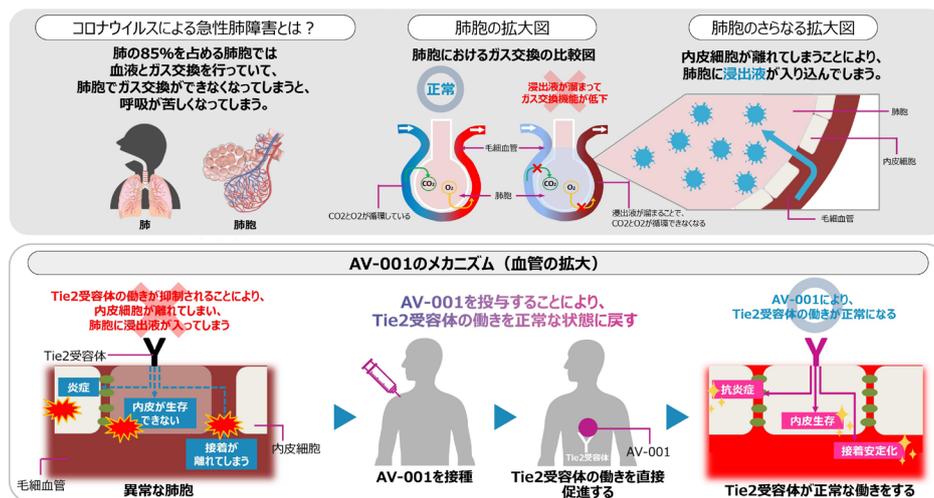
主要開発パイプラインの動向

(2) 新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」の開発状況

カナダの Vasomune との共同開発品である「AV-001」（Tie2 受容体アゴニスト化合物）※は、中等度から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が進められている。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」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感染症治療薬の開発について



出所：決算説明会資料より掲載

開発状況は、2022年1月より米国で前期第2相臨床試験を開始しており、今のところ順調に登録が進んでいる。試験内容は二重盲検、プラセボ対照試験となり、投与量別にグループ化して安全性と有効性を確認する（観察期間は投与後1ヶ月）。目標症例数は約120例で、実施施設は15施設を予定している。現在、米国の複数施設で実施しているが、南米でも実施すべく準備を進めている段階にある。同社は2022年内に後期第2相臨床試験入りを目標としており、その結果次第では早期承認制度を活用して販売承認申請を行う可能性がある。

主要開発パイプラインの動向

なお、「AV-001」の開発にあたっては、米国及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、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、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 相臨床試験及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される。「AV-001」の開発費の一部は同社も負担しているため、これら助成金の一部を Vasomune から受領しており、2022 年 12 月期第 1 四半期は補助金収入として 84 百万円 (2021 年 12 月期は 100 百万円) を営業外収益として計上している。

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

2. HGF 遺伝子治療用製品 DNA

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。

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 (プラセボ) 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。現在の進捗状況について見ると、2021 年末に予定していた患者登録を完了しており、1 年間の経過観察期間を経て、症例データを収集し評価・分析を行うことになる。データがまとまるのは 2023 年前半となり、結果が良好であれば本申請を行い、2024 年の本承認取得を目指すことになる。なお、市販後調査については目標症例数の登録が完了したが、引き続きデータを集積していくための調査を継続している。

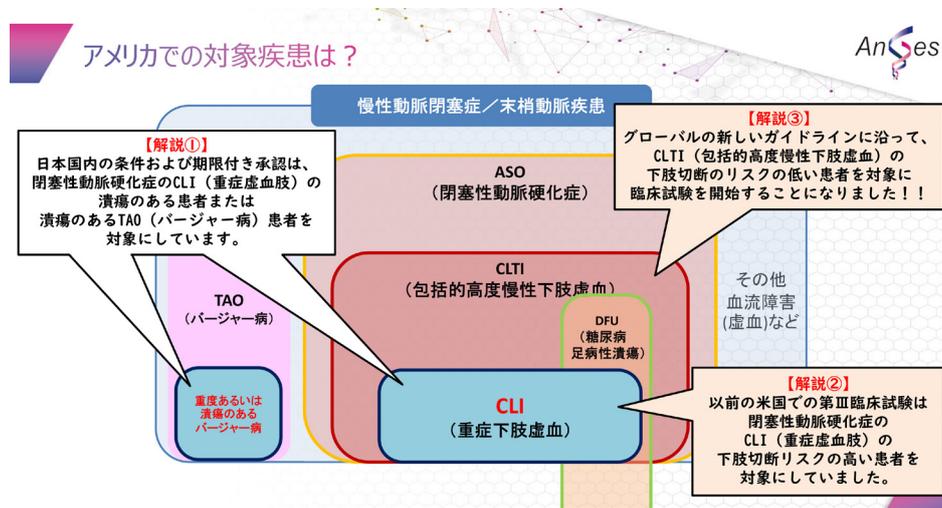
主要開発パイプラインの動向

また、同社は「コラテジェン®」の対象領域を広げるため、2019年10月より実施していた慢性動脈閉塞症の「安静時疼痛の改善」を効能とした第3相臨床試験も2021年12月に目標症例数40例の投与を完了しており、1年の経過観察期間を経てデータを収集・分析していくことになる。順調に進めば市販後調査と同時期に試験結果が判明することになる。同社は「潰瘍の改善」での本承認とあわせて「安静時疼痛の改善」を効能追加することで、「コラテジェン®」の薬価見直しを図りたい考えだ。

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、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4週間の間隔を置いて4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。

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も順調のようで、2023年までにデータ解析を完了して2024年に試験結果を発表するスケジュールに変わりない。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。

主要開発パイプラインの動向

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、現在は Kamada が規制当局と協議を進めており、申請準備段階にある。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 が薬事承認を取得後に独占販売権を締結し、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、「コラテジェン®」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、世界初のプラスミド（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なり、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す当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。

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 相臨床試験の計画策定とライセンス契約交渉を同時並行で進行中

3. NF- κ B デコイオリゴ DNA

NF- κ B 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- 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 NF- κ B 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（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当社では評価している。

主要開発パイプラインの動向

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）が使用されることが多いが、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、トップラインデータの発表を受けて国内外の製薬企業からの注目度も高まっており、ライセンス契約等の交渉も同時並行で進めている。第2相臨床試験では米国だけでなく欧州や日本での実施も新たな検討項目として上がっているもようで、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。

(2) 次世代型「キメラデオイ」

同社は2016年7月に次世代型「キメラデオイ」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デオイオリゴDNAと比較して、「NF- κ B」と「STAT6」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- κ Bデオイオリゴ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「キメラデオイ」は生体内での安定性に優れ、NF- κ Bデオイオリゴ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を持つ。

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- κ BデオイオリゴDNAで開発を継続するが、今後の新たな開発は、「キメラデオイ」に移行していくことになる。現在、適応疾患の選定中で非臨床試験の開始時期は未定となっている。

高血圧 DNA ワクチンの開発はモディファイすることも含めて戦略を策定中

4. 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。

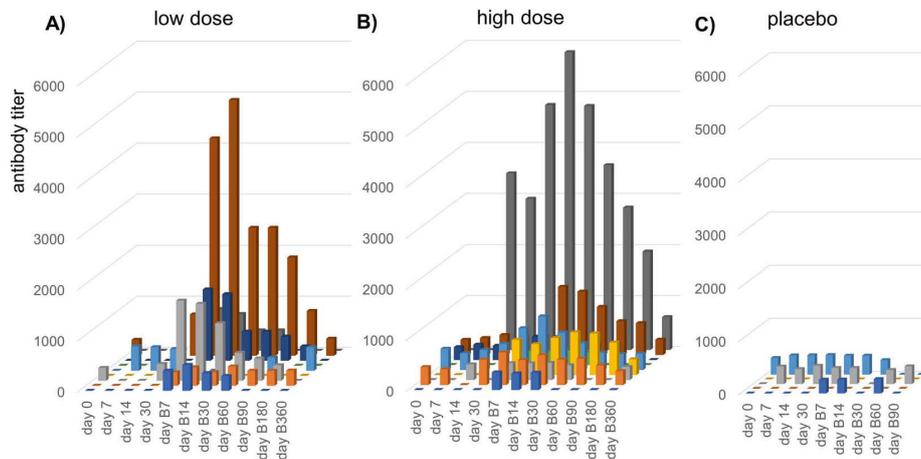
現在販売されている主な高血圧治療薬としては ARB (アンジオテンシン II 受容体拮抗薬 (経口薬)) があるものの、毎日服用する必要があるため、長期的に見た患者 1 人当たりの治療コストは高くなる。このため、発展途上国では医療経済上の問題から使用が限定的となっている。同社が開発する DNA ワクチンは既存薬よりも高薬価になると想定されるが、薬効期間次第ではトータルの治療コストが既存治療薬を下回る可能性も出てくる。

同社は 2018 年 4 月よりオーストラリアで安全性と有効性を評価する第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験 (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。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されている。要旨としては、安全性に問題がなく、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、全体として同ワクチンに対する忍容性は良好であるとの結果であった。ただ、抗体価については被験者ごとバラつきがあり、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まとめていく予定にしている。

同社では、今後データの詳細分析を行いながら開発方針をモディファイする余地がないかどうかも含めて検討し、策定することになっている。例えば高血圧症のなかでも重度のグレードの患者をターゲットにした開発を進めるケースが想定される。このため、今後の開発方針次第では再度第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験を実施する可能性もある。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。

主要開発パイプラインの動向

抗アンジオテンシン II 抗体の抗体価



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 ELANE 関連 SCN を対象とした臨床試験入りに向けた協議を FDA と進める

5. Emendo のゲノム編集技術

2020年12月に子会社化した Emendo では、独自開発した先進的なゲノム編集ツール「OMNI Platform」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ツールが開発されており、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。

Emendo の開発した「OMNI Platform」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、ゲノム編集に応用している。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、高い効率と精度をも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 Platform」はそのブレイクスルーとなる技術として注目され、2021年に開催された学会で同技術を用いた臨床研究の成果を発表したところ、大手製薬企業からバイオベンチャーまで問い合わせが増えたという。

主要開発パイプラインの動向

Emendo では今後、「OMNI Platform」を用いた遺伝子治療薬（技術）の開発を推進していくと同時に、「OMNI Platform」のライセンス提供による収益獲得という2軸で事業を展開していく方針となっている。治療薬（技術）の開発では希少遺伝性疾患となる ELANE 変異による SCN を対象とした開発を進めていくべく FDA との協議を行っている。SCN とは骨髄における顆粒系細胞の成熟障害により発症する好中球減少症のことで、遺伝子変異により出生後の早期から好中球減少による中耳炎、気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を反復し、肺炎や敗血症などその他の疾患に至るケースもある。100 万人に 2 人の割合で発症する希少疾患となり、SCN の約 7 割は ELANE 変異によるものとなっている。

現在の治療法は、ST 合剤（抗生剤、スルファメトキサゾール・トリメトプリム）による感染予防が一般的で、感染症がコントロールできない場合には G-CSF※を使用して好中球の誘導を促すことになる。ただ、G-CSF を高用量で使用した場合、骨髄異形成症候群や急性骨髄性白血病へ移行し、造血幹細胞移植が必要となるケースもある。Emendo では患者から造血幹細胞を取り出し、「OMNI Platform」を用いて正常な機能を有する ELANE を発現させたうえで患者の体内に戻し、好中球の機能を回復させる根治療法の開発を目指している。先進的な遺伝子改変技術を用いた治療法となるため、臨床試験のプロトコル策定まで時間を要するものと考えられ、臨床試験の開始時期は未定となっている。同社では 2030 年までに開発パイプラインを数本走らせることを目標としている。一方で、「OMNI Platform」のライセンス提供についてはバイオベンチャーからメガファーマまで合計 10 社程度の引き合いがきており、非独占的な形でサービス提供していく予定にしている。2022 年内にはサービス内容や料金等を明確にして、提供を開始したい考えだ。

※ G-CSF（顆粒球コロニー刺激因子）：サイトカインの一種で顆粒球産出の促進、好中球の機能を高める作用がある。

業績動向

2022年12月期第1四半期の営業損失は前年同期並みの3,453百万円に

1. 2022年12月期第1四半期の業績概要

2022年12月期第1四半期の売上高は前年同期比 33.3% 増の 15 百万円、営業損失は 3,543 百万円（前年同期は 3,628 百万円の損失）、経常損失は 2,934 百万円（同 3,361 百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失は 2,938 百万円（同 3,314 百万円の損失）となった。

業績動向

2022年12月期第1四半期連結業績

(単位：百万円)

| | 21/12期1Q | | 22/12期1Q | | 主な変動要因 |
|----------------------|----------|--------|----------|------|-------------------------------------|
| | 実績 | 実績 | 前年同期比 | 増減額 | |
| 売上高 | 11 | 15 | 33.3% | 3 | ACRL 手数料収入 15 百万円 |
| 売上原価 | 6 | 16 | 138.0% | 9 | ACRL 原価計上 |
| 研究開発費 | 2,416 | 2,267 | -6.2% | -148 | 新型コロナウイルスワクチン臨床試験費用の減少 |
| 販管費 | 1,216 | 1,275 | 4.8% | 58 | 円安に伴うのれん償却額の増加 (+69 百万円) |
| 営業利益 | -3,628 | -3,543 | - | 84 | |
| 経常利益 | -3,361 | -2,934 | - | 426 | 為替差益の増加 (+235 百万円)、 補助金収入 84 百万円 |
| 特別損益 | 32 | - | - | -32 | |
| 親会社株主に帰属する 四半期純利益 | -3,314 | -2,938 | - | 375 | |

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®」の出荷がなかったものの、2021年4月に開設したACRLにおける希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査の手数料収入15百万円を計上したことが増収要因となった。また、売上原価は検査事業に関連した費用を含め16百万円を計上した。

研究開発費は2,267百万円と前年同期比148百万円減少した。Emendにおける大学や病院との共同開発に係る業務委託費用が増加したものの、国内における新型コロナウイルス感染症ワクチンの臨床試験費用が減少した。項目別では、業務委託に伴う支払手数料が131百万円増加した一方で、研究用材料費が147百万円、外注費が200百万円、消耗品費が149百万円それぞれ減少した。販管費は1,275百万円と前年同期比で58百万円増加した。Emendoののれん償却額が為替の円安シフトにより同69百万円増加の637百万円となったことが主因だ。

また、営業外収支は前年同期比341百万円改善した。為替差益が同235百万円増加したほか、Vasomuneの「AV-001」に関連した補助金収入84百万円計上したことによる。

2022年12月期も100億円規模の研究開発費を投下し、 開発パイプラインの進展に取り組む方針

2. 2022年12月期の業績見通し

2022年12月期の業績見通しは、新型コロナウイルス感染症ワクチンやHGF遺伝子治療用製品等の臨床試験の進捗によって、研究開発費が大きく変わることで、並びに開発品の海外導出の可能性や営業外収益に計上見込みの新型コロナウイルス感染症ワクチン開発に係る補助金収入が未確定であることから、合理的な算出が可能となり次第速やかに開示する方針としている。

業績動向

経営の指針としては、「新たな展開を考え、ますます発展、進化していく端緒となる年」にすることを旨としており、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取り組んでいく方針だ。子会社の Emendo でも ELANE 関連 SCN を対象とした臨床試験開始に向けた取り組みを進めていく。売上高はオプションスクリーニング検査の手数料収入が第 2 四半期以降も継続的に見込まれるほか、第 1 四半期に出荷がなかった「コラテジェン®」についても第 2 四半期は受注が再び入って戻ってきていることから、前年同期を上回る水準が続くものと予想される。

一方、費用面では現時点で研究開発費を前期並みの水準で見込んでいることから、営業損失は前期並みの水準が続くものと想定される。経常損失については新型コロナウイルス感染症ワクチンに係る補助金収入が変動要因となる。既述のとおり、第 1 四半期末の厚生労働省及び AMED の前受金が 5,894 百万円となっており、最大で同額分を営業外収益に計上する可能性がある。このため、経常損失は前期比で縮小する公算が大きいと弊社では見ている。

手元キャッシュは 150 億円超と潤沢で当面の事業活動資金は確保

3. 財務状況について

2022 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 1,393 百万円減少の 44,062 百万円となった。流動資産では、現金及び預金が 2,488 百万円減少した一方で、「コラテジェン®」の医薬製造に伴い原材料及び貯蔵品が 483 百万円増加した。固定資産では円安の進展に伴いのれんが 786 百万円増加した。

負債は前期末比 380 百万円増加の 7,201 百万円となった。買掛金が 225 百万円減少した一方で、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助成金の入金により前受金が 774 百万円増加した。純資産は前期末比 1,774 百万円減少の 36,860 百万円となった。親会社株主に帰属する四半期純損失 2,938 百万円を計上した一方で、主にのれんに係る為替変動の影響により為替換算調整勘定が 1,167 百万円増加した。

2022 年 12 月期第 1 四半期末の現金及び預金は 15,411 百万円と前期末より減少したものの、2022 年 12 月期の事業活動資金については確保されているものと考えられる。2023 年 12 月期以降は各開発パイプラインの進捗や導出状況等によるが、必要であれば新たな資金調達を検討していくものと見られる。

業績動向

連結貸借対照表

(単位：百万円)

| | 19/12期 | 20/12期 | 21/12期 | 22/12期 1Q | 前期末比 |
|----------|--------|--------|--------|-----------|--------|
| 流動資産 | 10,992 | 14,166 | 21,426 | 19,235 | -2,190 |
| (現金及び預金) | 10,040 | 11,537 | 17,899 | 15,411 | -2,488 |
| 固定資産 | 1,532 | 24,187 | 24,029 | 24,826 | 797 |
| (のれん) | - | 22,713 | 22,675 | 23,462 | 786 |
| 総資産 | 12,524 | 38,354 | 45,455 | 44,062 | -1,393 |
| 負債 | 469 | 5,674 | 6,821 | 7,201 | 380 |
| (前受金) | - | 3,594 | 5,119 | 5,894 | 774 |
| (有利子負債) | - | - | - | - | - |
| 純資産 | 12,055 | 32,679 | 38,634 | 36,860 | -1,774 |
| 経営指標 | | | | | |
| 自己資本比率 | 95.5% | 84.8% | 84.8% | 83.5% | -1.3pt |
| 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

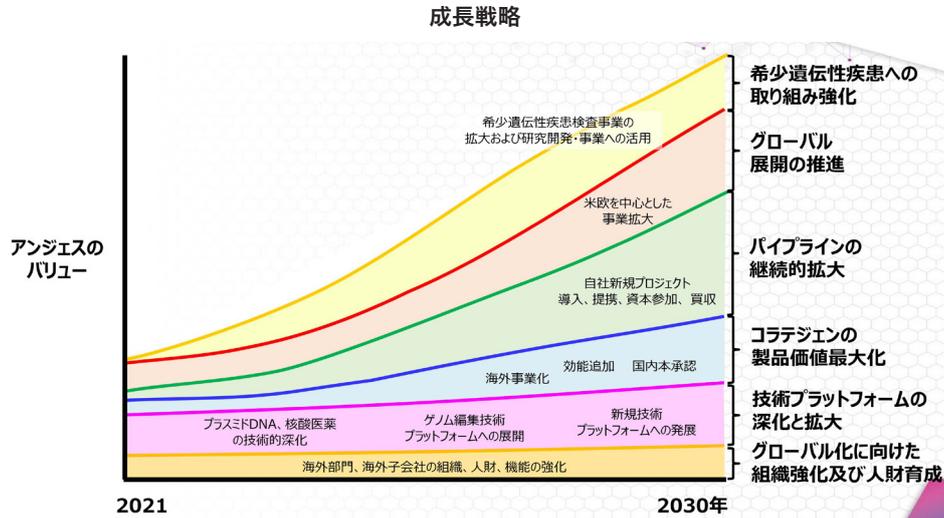
治療法がない疾病分野や希少遺伝性疾患等を対象に開発を進め、 遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

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入（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 が開発を進めるパイプライン導出の可能性や、先進的なゲノム編集ツール「OMNI Platform」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。

今後の成長戦略としては、グローバル化に向けた組織強化や人材育成、並びに技術プラットフォームの深化と拡大に取り組みながら、1) 「コラテジェン®」の製品価値最大化、2) パイプラインの継続的拡大、3) グローバル展開の推進、4) 希少遺伝性疾患への取り組み強化などに注力し、企業価値の向上を目指していく方針だ。今回、「ゾキンヴィ」の国内での独占的販売契約を締結したこともこうした成長戦略の一つとなる。今後は遺伝子治療薬の開発と合わせて、スクリーニング検査事業も行うことで、希少遺伝性疾患領域での新たな開発品候補を見出し、効果的な開発を進めていくことも可能になると見られ、今後の動向が注目される。

今後の成長戦略



出所：決算説明会資料より掲載

重要事項（ディスクレマー）

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