

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 >>>

2025 年 9 月 30 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. HGF 遺伝子治療用製品の開発方針	01
2. その他パイプラインの状況	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	04
■ 主要開発パイプラインの動向	04
1. HGF 遺伝子治療用製品	05
2. NF- κ B デコイオリゴ DNA (AMG0103)	08
3. ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト)	09
■ Emendo の開発状況	10
1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴	10
2. 事業戦略	11
■ ACRL の取り組み状況	13
■ 業績動向	15
1. 2025 年 12 月期中間期の業績概要	15
2. 2025 年 12 月期の業績見通し	16
3. 財務状況について	17
■ 今後の成長戦略	18

要約

HGF 遺伝子治療用製品の開発方針決定、 最短で 2027 年に製造販売承認も

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で、ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダーとして、未だ有効な治療法が存在しない疾患に革新をもたらし、世界中の人々の QOL（生活の質）向上に貢献」することを掲げている。2020 年に先進ゲノム編集技術の開発を行う EmendoBio Inc.（以下、Emendo）を子会社化し、2021 年には国内で希少遺伝性疾患向け拡大新生児スクリーニング検査を行う衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（以下、ACRL）」を開設、検査受託サービスを開始した。

1. HGF 遺伝子治療用製品の開発方針

2025 年 8 月に同社は、米国で軽度から中等度の包括的高度慢性下肢虚血（CLTI）を対象に開発を進めている HGF 遺伝子治療用製品について、臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請（BLA）に向けた準備を進める方針を決定した。併せて、原薬供給先である Boehringer Ingelheim Biopharmaceuticals GmbH（以下、ベリンガー）と同製品の上市を視野に入れた、新たな製造体制構築のための受託開発・製造契約を正式に締結した。今後、製造体制の構築と米国食品医薬品局（以下、FDA）の査察を経て製造販売の承認申請を行うことになる。申請・承認時期は最短でも 2027 年となる見通しだ。販売パートナー契約で交渉の一助となる学術誌への論文掲載に関しては、2025 年秋ごろを見込んでおり、その後に大手製薬企業との販売パートナー交渉を進める。同社では調査会社から同疾患の米国内の対象患者数が約 50 万人と報告を受けており、売上ポテンシャルとして 1 千億円超の規模が期待できると弊社では見ており、今後の動向が注目される。

2. その他パイプラインの状況

慢性椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験は、2025 年内の被験者登録完了と 2027 年前半の試験結果発表を目指している。しかし、被験者登録完了時期については 2026 年前半にずれ込む可能性がある。カナダの Vasomune Therapeutics, Inc.（以下、Vasomune）と共同開発を進める ARDS 治療薬「AV-001」は、北米での前期第 2 相臨床試験が間もなく終了し、年内にもトップラインデータが発表できる見通しとなっている。また、新たに血液透析患者の脳損傷予防を目指す医師主導試験をカナダ心臓・脳卒中財団の助成を受けて開始することが決定した。子会社の Emendo は、スウェーデンの Anocca AB（以下、Anocca）との間で 2024 年に締結した OMNI ヌクレアーゼ「OMNI-A4」に関する非独占的使用権契約の対象範囲を拡大する契約締結を 2025 年 9 月に発表した。Anocca は難治性固形がんを適応対象とした TCR-T 細胞療法の開発を進めており、「OMNI-A4」の性能を高く評価し、今後の製品開発に活用していくことになる。今回の決定により Emendo は追加の契約一時金を受け取るとともに、同技術を採用した開発パイプラインが増えることで将来的にマイルストーン収入が増加する可能性がある。

要約

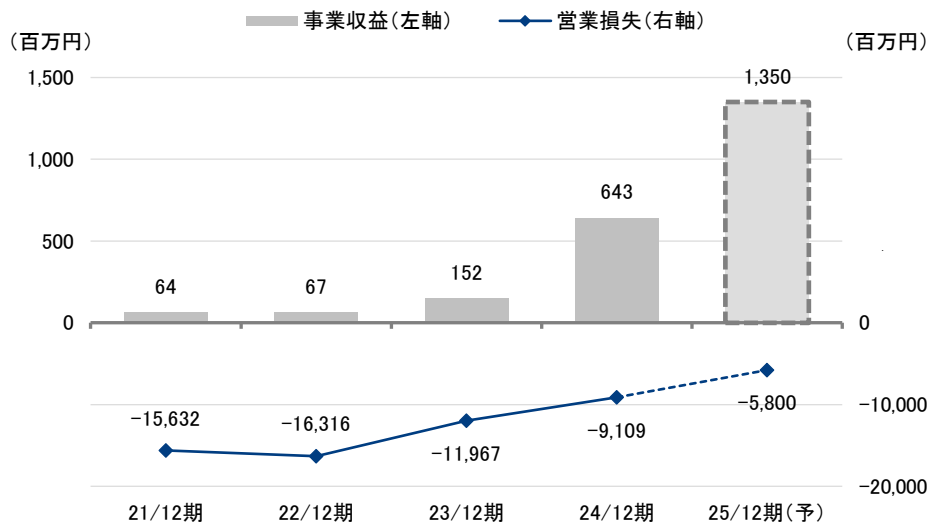
3. 業績動向

2025 年 12 月期中間期の業績は、事業収益が 414 百万円（前年同期比 67 百万円増）、営業損失が 2,400 百万円（同 2,707 百万円減）となった。事業収益は、前年同期に計上した契約一時金や製品売上高がなくなったものの、ACRL の検査手数料収入の伸長により増収となった。費用面では、前年同期に計上したのれん償却額 1,668 百万円がなくなったほか、前期に事業構造改革を実施した Emendo 関連の研究開発費や販管費が減少し、営業損失の縮小要因となった。2025 年 12 月期の事業収益は 1,350 百万円（前期比 706 百万円増）、営業損失は 5,800 百万円（同 3,309 百万円減）と期初計画を据え置いた。事業収益は若干未達となる可能性があるものの、営業損失は計画よりも縮小する可能性が高い。なお、2025 年 6 月末の現金及び預金残高は 2,908 百万円となっており、当面は HGF 遺伝子治療用製品の上市を最優先に費用を抑制しつつ、株式市場で事業活動資金を調達する方針だ。

Key Points

- ・ HGF 遺伝子治療用製品は原薬メーカーと新契約を締結、米国で 2027 年の販売承認取得を目指す
- ・ 「AV-001」は 2025 年内に臨床試験結果を発表、新たな適応症で医師主導治験が決定
- ・ OMNI 技術の高評価を受け Anocca とのライセンス契約適用範囲の拡大を決定
- ・ 2025 年 12 月期の営業損失は計画よりもやや縮小する可能性

連結業績推移



出所：決算短信よりフィスコ作成

会社概要

遺伝子医薬の開発に特化した大阪大学発のバイオベンチャー

1. 会社沿革

同社は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 1999 年に設立された。HGF 遺伝子治療用製品において、田辺三菱製薬<MTZPY>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た。その後、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き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た。しかし、製造販売後承認条件評価（市販後調査）の結果、第 3 相臨床試験の成績を再現できなかったこと、並びに米国で実施した後期第 2 相臨床試験の好成績を受け、戦略的な観点から 2024 年 6 月に本承認の申請を一旦取り下げるなど開発戦略の変更を決定した。これにより、同年 8 月に田辺三菱製薬との日米における独占的販売権許諾契約の解消を発表した（解消日は日本が 2024 年 11 月 1 日、米国が 2025 年 2 月 1 日）。

そのほかのパイプラインでは、核酸医薬品である NF- κ B デコイオリゴ DNA について、米国で慢性椎間板性腰痛症を対象に 2018 年より後期第 1 相臨床試験を実施して良好な結果を得た。これを受け、2023 年 3 月に塩野義製薬<4507>と国内での協力に関する契約を締結し、同年 10 月より第 2 相臨床試験を開始した。また、2022 年 5 月に米国 Eiger BioPharmaceuticals, Inc.（以下、アイガー）と希少遺伝性疾患で乳児早老症とも呼ばれる HGPS 及び PDPL^{※1}を適応症とした治療剤「ゾキンヴィ」の国内での販売契約を締結^{※2}し、2024 年 1 月に製造販売承認を取得、同年 5 月より販売を開始した。

※1 乳児早老症とも言われる HGPS（ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群）は LMNA 遺伝子の突然変異により発症し、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、動脈硬化の促進などにより、平均寿命は 14.5 歳と報告されている致死性の高い疾患である。また、PDPL（プロセッシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー）も LMNA や ZMPSTE24 遺伝子の変異により、同様の症状が生じ老化を促進する。HGPS 及び PDPL の世界における患者数は 600 人程度で、HGPS は日本でも難病指定され、患者数は数名程度と報告されている。患者 1 人当たりの年間売上高は薬価ベースで 1 億円強である。

※2 アイガーが 2024 年 4 月に米国倒産法第 11 条の適用を申請したことに伴い、「ゾキンヴィ」に関する契約は事業承継先となる米国 Sentyln Therapeutics, Inc. との間で継続することとなった。

M&A・アライアンス戦略として、2018 年にカナダの Vasomune と共同開発契約を締結し（2023 年 3 月に 273 百万円を出資）、ARDS（急性呼吸窮迫症候群）を対象とした治療薬候補品「AV-001」（Tie2 受容体アゴニスト）の開発を進めている。また、2018 年には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（2022 年 11 月に転換社債 74 百万円を引き受け、減損処理済み）。さらに、2020 年にはゲノム編集技術により希少遺伝性疾患の治療薬開発を目指す Emendo の株式を取得し、子会社化した。

医薬品開発以外の事業として、2021 年 4 月に新生児の希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所 ACRL を開設し、（一社）希少疾患の医療と研究を推進する会（以下、CReARID）と連携して、オプションスクリーニング検査の受託サービスを開始した。

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、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」を開発対象領域としていることにある。また、自社開発品以外にも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的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、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等を獲得することを主軸としている。臨床試験の規模や期間は対象疾患等により異なるが、第 1 相から第 3 相臨床試験まで 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・上市といった流れになる。新薬開発の成功確率は低く、基礎研究段階に特定したリード化合物が新薬として発売される確率は、約 3 万分の 1 と言われている。

希少遺伝性疾患の検査受託サービスでは、新生児の希少遺伝性疾患を調べるための拡大新生児スクリーニング検査※1 を主に首都圏のクリニックなどから受託している。2024 年からは、地方自治体を通じた受託も開始した。スクリーニング検査で要精密検査となれば、遺伝学的検査（確定検査）※2 を行う。スクリーニング検査やその後の確定検査によって発症前の早期段階から治療を始めることで、症状の進行を抑える効果が期待できる。検査対象の疾患は、地方自治体が公費で実施するマススクリーニング検査（20 疾患が対象）以外の希少遺伝性疾患で、希望者に対して有償で検査を実施している。現在、ACRL で検査可能な疾患はムコ多糖症やファブリー病（男児のみ）など 14 疾患※3 だが、随時拡充する考えだ。

※1 公費負担ですべての新生児に実施しているマススクリーニング検査に含まれていない遺伝性疾患に対する有償検査サービスを実施している。

※2 スクリーニング検査の結果で疾患の疑いがある場合、また、発症した症状から該当の疾患である可能性がある場合に、その病気の原因である遺伝子変異の有無を確認することで該当の疾患かどうかを確定させる検査。

※3 ムコ多糖症（I 型、II 型、IVA 型、VI 型、VII 型）、ポンペ病、ファブリー病、ゴーシェ病、ニーマンピック病 A/B 型、クラッペ病、副腎白質ジストロフィー、脊髄性筋萎縮症、重症複合免疫不全症、アデノシンデアミナーゼ欠損症を対象疾患としている。東京都では 2025 年 3 月より、ムコ多糖症（I・II 型）、ポンペ病についてマススクリーニング検査の対象に追加した。

■ 主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品は原薬メーカーと新契約を締結

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- κ B デコイオリゴ DNA や、提携先の Vasomune と共同開発中の Tie2 受容体アゴニストがある。

主要開発パイプラインの動向

主要開発パイプラインの状況

プロジェクト	地域	導出先・提携先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用製品	日本	-	慢性動脈閉塞症	2024 年 6 月に条件・期限付き製造販売の条件解除に向けた本申請を取り下げ。米国での開発動向を見て今後の方針を検討。
	米国	-	包括的高度慢性下肢虚血	2023 年 3 月に後期第 2 相臨床試験 (症例数 75 例) を完了、2024 年 11 月に治験指導医師が学会でトップラインデータ発表。米国で販売承認申請に向け準備中。
	イスラエル	Kamada Pharmaceuticals	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Kamada も製造販売承認申請を取り下げ。
	トルコ	Er-Kim Pharmaceuticals	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Er-Kim も申請準備を一旦中止。
NF- κ B デコイオリゴ DNA	米国	-	慢性椎間板性腰痛症	米国で後期第 1 相臨床試験完了 (25 例、2018 年 2 月～2021 年)。
	日本	塩野義製薬	慢性椎間板性腰痛症	日本で第 2 相臨床試験について塩野義製薬と協力に関する契約を締結。2023 年 10 月より開始 (予定症例数 92 例)。
Tie2 受容体アゴニスト「AV-001」	米国	Vasomune	ARDS	2018 年 7 月に Vasomune と共同開発契約を締結、北米で前記第 2 相臨床試験を 2022 年 1 月より開始。 (予定症例数 60 例)。

注：出典は、IMS Health、Foster Rosenblatt、Health Policy Institute 及び Pain Med.、IQVIA、AHA Journals、Am J Resp Crit Care Med.

出所：決算短信、有価証券報告書、同社ニュースよりフィスコ作成

1. HGF 遺伝子治療用製品

HGF 遺伝子治療用製品は、血管新生作用を活用して、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。慢性動脈閉塞症は、血管が閉塞することによって血流が止まることで組織が潰瘍・壊疽を起こし、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。現在の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、手術ができないケースも多く、新たな治療法の開発が望まれている。

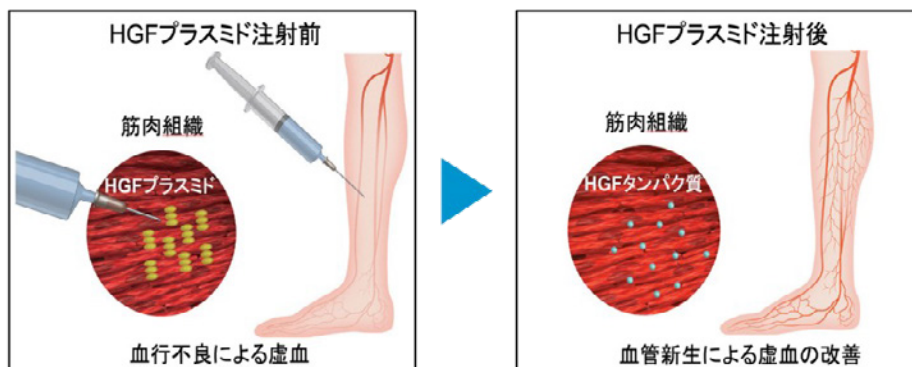
HGF 遺伝子治療用製品は、血管が詰まっている部位周辺に複数回注射投与することによって新たな血管を作り出し、血流を回復させることで潰瘍の改善を図るものである。国内では 2019 年 3 月に「標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能、効果または性能として、条件及び期限付き承認を取得し、同年 9 月より「コラテジェン® 筋注用 4mg」※として提携先の田辺三菱製薬を通じて販売を開始した。製造販売後承認条件評価を実施して 2023 年 5 月に本承認の申請を行ったが、国内第 3 相臨床試験の成績を再現できなかったことや、米国の後期第 2 相臨床試験の結果が良好であったことを踏まえて、戦略的観点から 2024 年 6 月に申請を一旦取り下げ、国内での販売を終了した。

※ 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 回目の投与もできる (薬価は約 61 万円/1 瓶 (4mg))。

アンジェス | 2025 年 9 月 30 日 (火)
4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

主要開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品による血管新生

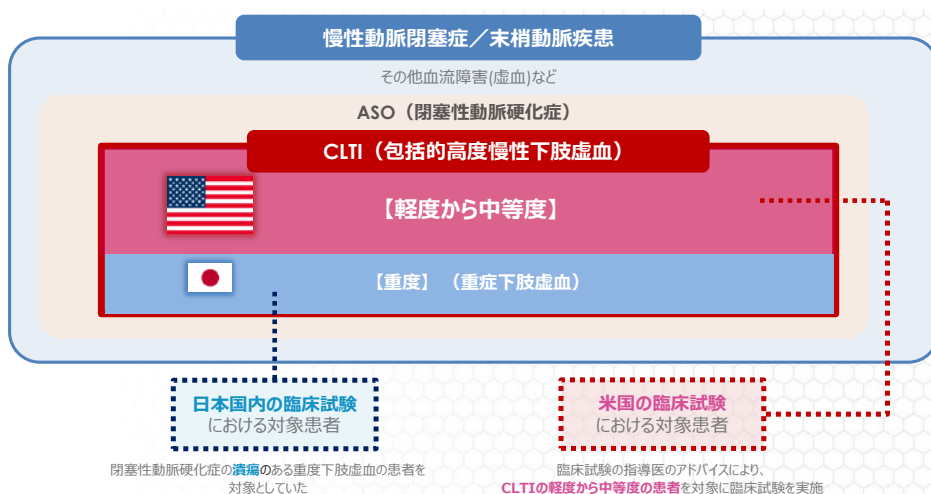


出所：決算説明資料より掲載

国内では重度の患者を対象に開発を進めたのに対して、米国では 2019 年 6 月に改定された包括的高度慢性下肢虚血に関するグローバル治療指針※や治験指導医師の提案を踏まえて、下肢切断リスクの低いステージ 1 または 2 の患者を対象に臨床試験を実施した。治験指導医師の、重症下肢虚血の患者はがんと同様に早期に治療を開始することが重要である、との仮説による試験デザインとした。

※ 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。当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、米国での後期第 2 相臨床試験は下肢切断リスクの低い clinical stage1 と 2 を対象とした。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いる。

日本と米国の臨床試験における疾患の範囲



出所：事業計画及び成長可能性に関する事項の開示より掲載

アンジェス | 2025 年 9 月 30 日 (火)
4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

主要開発パイプラインの動向

米国の後期第 2 相臨床試験では、主要評価項目として「治癒までの期間」と「投与後 6 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」を設定し、HGF 遺伝子治療用製品またはプラセボを 4 週間間隔で 4 回投与するプラセボ対照無作為化二重盲検比較試験を実施した。被験者を 4mg/ 回、8mg/ 回、プラセボの 3 群に分類し、12 ヶ月の観察期間を設けてデータ収集を行った（被験者数は途中脱落者も想定して全 75 例を組み入れ）。2024 年 11 月に開催された米国心臓病学会にて治験指導医師からトップラインデータが発表されており、「治癒までの期間」がプラセボ群に対して、本剤は大幅に短縮できることが確認された。また、「投与後 6 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」のほか、「同 12 ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合」及び「同 12 ヶ月時点の潰瘍再発率」においてもプラセボ群に対する本剤の有効性が確認された。これらの結果は、HGF 遺伝子治療用製品が慢性下肢虚血の早期ステージにおいて有効な治療法であることを示唆しており、治験指導医師も今回の結果を受けて、「HGF 遺伝子治療用製品が既存治療法の有望な代替手段となる可能性がある」と結論付けている。

なお、治験結果の詳細な内容については、治験指導医師らが学術誌に論文発表する手続きを進めており、同社も掲載と併せて同内容を発表する予定である。論文掲載前に詳細な内容を公表すると、当該学術誌の投稿規程に抵触し、掲載されなくなるためだ。既に論文は出版社に提出されており、あとは出版社側が掲載時期を判断することになるが、同社では 10 月ごろの掲載を見込んでいる。論文が発表されれば販売ライセンス契約の交渉も本格的にスタートする。日本の臨床試験結果よりも良好な結果が得られた理由として、被験者の症状（軽度から中等度を対象）や投与回数（日本は 2 ～ 3 回、米国は 4 回）の違いに加えて、経過観察期間中の患者の管理体制の違いが影響したのではないかと同社では推察している。米国ではブーツを履くことで患部を保護していたほか、週 1 度の診察を受けるなどフォローアップ体制も万全だった。

同社は米国での今後の開発方針について、臨床試験を完了とし、生物製剤認可申請（BLA）に向けた準備を進めていくことを 2025 年 8 月の取締役会で決定した。今後は FDA と協議を継続しながら申請書類の作成等を進めていく。また、この決定に伴い、HGF 遺伝子治療用製品の製造委託先であるペーリンガーと、承認取得及び上市に向けた原薬の製造体制を構築するための受託開発・製造契約を締結した。従来は、臨床試験用に小規模設備で原薬を製造・供給してきたが、上市後は 4,000 リットル規模の大型培養設備を構築する必要がある。FDA への承認申請時期は早くて 2027 年の第 1 四半期ごろとなりそうだ。同製品は FDA よりブレイクスルーセラピーに指定※されているため、承認取得も最短で 2027 年内となる可能性がある。

※ ブレイクスルーセラピー指定制度とは、重篤な疾患や生命を脅かす疾患に対する新規治療薬の開発と審査を迅速化することを目的に FDA が導入した制度で、臨床試験の結果などを基に既存の治療法よりも顕著な改善を示す可能性のある開発品が指定を受ける。

ペーリンガーと新たな受託開発・製造契約を締結したことで、上市までの開発コスト増が見込まれるものの、上市に向けて一歩前進したことはポジティブに評価される。また、販売パートナーも承認申請までには決定するものと予想される。有力候補先としては、対象患者が重なることの多い糖尿病治療薬を手掛ける欧米系のメガファーマが挙げられる。米国で上市後は欧州での展開も見据えているため、治験指導医師からは米国内だけでなく欧州でも強い販売力も持つ企業を推奨されているようだ。なお、日本における開発方針は、国内の第 3 相臨床試験結果と米国における後期第 2 相臨床試験の結果を中心に新たな申請データパッケージを構築し、改めて製造販売承認の申請に向けた準備を進めるが、まずは米国での承認取得を最優先に取り組む方針だ。

HGF 遺伝子治療用製品の市場規模については、米国だけで少なくとも 1 千億円を超える規模になると弊社では試算している。米国での対象患者数は調査会社の調べで約 50 万人と見られる（日本では 5 千人～2 万人）。このうち承認後すぐに使用する患者数は数万人規模と見られ、これに国内で設定されていた薬価（約 61 万円 / 1 瓶（4mg））× 4 回を掛あわせた。ただし、血行再建術による治療コストと同程度になると仮定すれば、さらに 4 倍以上の規模になるとの見方もあるようだ。米国で上市されれば日本や欧州にも展開し、世界規模ではさらに大きなポテンシャルを持つことになるだけに、今後の動向が注目される。

慢性椎間板性腰痛症を対象とした 第 2 相臨床試験の結果は 2027 年発表見込み

2. NF- κ B デコイオリゴ DNA (AMG0103)

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「核酸医薬品」の一種で、生体内で免疫・炎症反応を惹起する転写因子と呼ばれるタンパク質（NF- κ B）に対する特異的な阻害剤である。NF- κ B が遺伝子の特定の DNA 配列領域に結合し、スイッチが入ることで痛みなどの炎症の原因であるタンパク質が生成されるが、NF- κ B デコイオリゴ DNA を体内に入れることで、炎症を引き起こすタンパク質を生成する遺伝子領域と NF- κ B が結合しにくくなり、炎症の原因であるタンパク質の生成を抑制する。

NF- κ B デコイオリゴ DNA の国内第 2 相臨床試験は、2023 年 3 月に塩野義製薬との協力に関する契約（臨床試験費用の一部を負担）を締結し、同年 10 月から慢性椎間板性腰痛症※を対象として開始した。予定症例数を 92 例とし、最初の 2 例で最大投与量 20mg の安全性試験を実施し、安全性及び忍容性が確認された。その後、10mg、20mg、プラセボの 3 群（各 30 例、単回投与）に分類した比較試験を実施している。観察期間は 12 ヶ月で、有効性については「痛み」の指標である NRS スコアの変化で評価する。現在、20mg 投与群の被験者登録が進んでいるが、予定よりも若干ペースが遅れぎみとなっている。2025 年内の被験者登録完了を目指しており、2027 年内には臨床試験の結果が発表される見通しだ。良好な結果が得られた場合、ライセンスアウトする意向だが、塩野義製薬との協議次第となる。

※ 慢性椎間板性腰痛症とは、3 ヶ月以上痛みが持続し、椎間板が原因で起こる腰痛症を指す。慢性腰痛症の約 40% を占めるとされている。臨床試験対象者は、18 ～ 75 歳で腰痛の NRS スコア（自己申告による痛みの指標）が臀部痛や下肢痛の NRS スコアよりも大きい。腰痛に対する保存的治療で効果が不十分な患者で、かつスクリーニング時点、及び投与実施日と前日の NRS スコアが 4 ～ 9 の患者（中等度から強い痛み）としている。また、複数個所に痛みを持つ患者は除外している。

主要開発パイプラインの動向

国内の臨床試験に先駆けて米国で 2018 年より実施した後期第 1 相臨床試験（プラセボ対照無作為化二重盲検比較試験、25 症例、観察期間 50 週）の結果についての論文が、2025 年 5 月に脊椎疾患専門の学術誌「The Spine Journal」※に掲載された。安全性及び忍容性に問題がなかったほか、有効性においても投与量 3 群(0.3mg、3.0mg、10.0mg)のうち最大投与量群において投与後早期に腰痛が大幅軽減し、1 年後には投与前と比較して痛みのスコアが平均 77% 軽減（プラセボ群では平均 40%）したほか、同投与群に関しては治験期間を通して鎮痛薬を追加投与された症例がなく、鎮痛効果が持続していることが示唆された。詳細に見ると、同投与群のうち、半数の患者の痛みがほぼ完全に消失した。また、椎間板の高さについてもプラセボ群が減少したのに対し、10mg 投与群では増加が認められ、椎間板の形態的な改善効果が示唆される結果が得られたとしている。日本の臨床試験では米国の最大投与量を上回る 20mg 群の試験も行っていることから、好結果を得られる可能性が高いと弊社では見ている。

※「The Spine Journal」は、北米脊椎学会が発行する脊椎外科に関する研究論文やレビュー、症例報告などを掲載する脊椎疾患分野を代表する国際的な学術誌で各国から寄せられた質の高い論文を隔週で提供している。

国内では慢性椎間板性腰痛症の患者に対して、内服・外用薬治療や理学療法など対症療法が一般的に行われているが、AMG0103 は単回投与で 1 年間の効果持続が見込まれるため、患者の QOL 向上に貢献する。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り、2027 年に発表される臨床試験の結果が注目される。

「AV-001」は 2025 年内に臨床試験結果が判明する見通し

3. ARDS 治療薬 (Tie2 受容体アゴニスト)

カナダの Vasomune との共同開発品である ARDS 治療薬「AV-001」(Tie2 受容体アゴニスト)※は、2018 年より全世界を対象に急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患の治療薬として共同開発を進めてきた。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の治療薬としても効果があると見て、2022 年 1 月より米国で前期第 2 相臨床試験を実施している。しかし、新型コロナウイルス感染症の変異株では重篤な肺炎を発症する感染者が急減したことから、現在は対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含む ARDS に拡大し (FDA 承認済み)、予定症例数は 60 例で、そのうち最終コホートは 20 例で臨床試験を進めている。前期第 2 相臨床試験の 60 名を投与量で 3 群に分け、「AV-001」と標準治療薬またはプラセボと標準治療薬のいずれかを投与し、安全性及び忍容性と有効性を評価する。

※ 同社は 2018 年に 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「AV-001」の全世界を対象とした共同開発契約を締結した。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契約となっている。ARDS の患者数は米国だけで 26 万人いる。

主要開発パイプラインの動向

2025 年 8 月時点で最終コホートの登録が進行中であり、順調に進めば秋ごろに被験者登録を完了し、年内にもトップラインデータが判明する見通しだ。良好な結果が得られればライセンスアウトする意向だが、後期第 2 相臨床試験でも引き続き開発助成金を得られる可能性があるため、独自で臨床試験を進めることも考えている。「AV-001」は 2024 年 5 月に米国 FDA から Fast Track※に指定されており、臨床試験に関する協議や審査などの手続きを迅速に進めることが可能となっている。

※ 重篤な疾患に対する新たな治療法やアンメット・メディカル・ニーズを満たす可能性のある薬剤などの開発を促進し、迅速に審査することを目的に制定された制度。

また、新たに血液透析患者における急性虚血性脳損傷の予防を目的とした医師主導臨床試験の開始を決定した。同研究はカナダ心臓・脳卒中財団の助成を受けて実施され、血液透析によって引き起こされる細胞毒性脳浮腫を軽減し、脳の白質の機能を維持できるかを評価する試験となる。良好な結果が得られれば、より大規模な試験が検討される。末期腎不全患者の最大 90% が血液透析を利用しているが、55 歳以上の患者の約 70% が細胞毒性脳浮腫となり、中等度から重度の認知障害を引き起こすなど医療現場において大きな課題となっている。「AV-001」は Tie2/Angiopoietin-1 シグナル伝達経路を標的とすることで、血管を安定化させ、血管漏出や炎症を抑制する効果が期待でき、細胞毒性脳浮腫の軽減により血液透析患者の脳の機能を守る新たな治療法となる可能性がある。臨床試験費用は助成金で賄われるため同社のコスト負担もなく、今後の開発動向が注目される。

Emendo の開発状況

OMNI プラットフォームはゲノム編集技術のなかでも安全性の高さに強み

1. ゲノム編集技術と OMNI プラットフォームの特徴

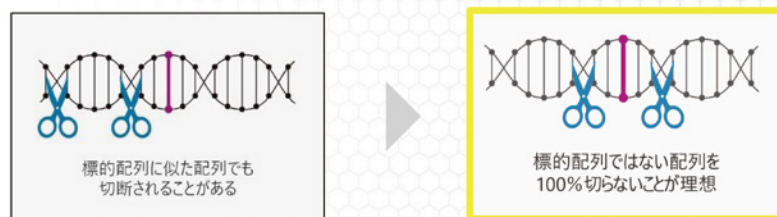
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、ねらった遺伝子を改変する技術を指す。2012 年に従来より短時間で簡単に標的とする DNA 配列を切断できる CRISPR/Cas9（クリスパーキャスナイン）と呼ばれる革新的な技術が登場したことで、製薬業界においてもゲノム編集技術を用いて新薬の開発を行う動きが活発化した。米国 Vertex Pharmaceuticals Inc.<VRTX> とスイスの CRISPR Therapeutics<CRSP> が同技術を用いて共同開発した鎌状赤血球貧血症※を適応症とした治療薬が、2023 年 11 月に英国、同年 12 月に米国で初めて承認された。患者から採取した造血幹細胞をゲノム編集技術で遺伝子改変し、それを注射投与で体内に戻すことで治療効果を得る治療法である。

※ 鎌状赤血球貧血症とは、赤血球に含まれるヘモグロビン（酸素の運搬に使われるタンパク質）が遺伝子異常によって変形することで赤血球が鎌状となって壊れやすくなり貧血の症状を起こす疾患。症状が悪化すると壊れた鎌状赤血球によって毛細血管が遮断され激痛が生じるほか、長期にわたる場合、腎不全や心不全を惹き起こすケースもある。今回承認されたのは、血管閉塞性危機が定期的に起きる 12 歳以上の患者を対象としている。

Emendo の開発状況

CRISPR/Cas9 はその技術を用いた治療薬が初承認を得たことで一定の安全性が確認されたが、依然としてオフターゲット効果の懸念は残っている。これに対して、Emendo が独自開発した OMNI プラットフォームは、より高精度かつ安全性の高いヌクレアーゼを探索・最適化する仕組みで、オフターゲット効果を回避する新しいヌクレアーゼを作り出す技術である。自社開発したヌクレアーゼのうち 250 超については特許を申請している。ゲノム編集技術による医薬品の開発を進める場合には、効率性だけでなく安全性も強く求められるため、OMNI プラットフォームは強みになると弊社では評価している。

オフターゲット効果の回避を目指して



オフターゲット効果を回避することが重要

オフターゲット効果低減のために、

- ゲノム内に標的配列に類似した配列がないか検索
- 類似配列が存在する標的は避け、別の標的配列を探す

これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう
“オフターゲット効果”が懸念されていましたが、
Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果のない、
安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

出所：決算説明資料より掲載

また、もう 1 つの特徴としてアレル特異的遺伝子編集が可能な点が挙げられる。これは、対をなすアレル（対立遺伝子）のうち、異常のある片方のみをターゲットにして編集を行い、正常な遺伝子を傷つけずに治療する技術である。ヒトは父方と母方の 2 つのアレルを一对で持っており、片方のアレルに異常があることで発症する遺伝性疾患は「顕性遺伝（機能獲得型変異 / ハプロ不全）」、両方のアレルに異常があることで発症する疾患は「潜性遺伝（複合型ヘテロ接合体 / ホモ接合体）」、または「伴性遺伝（性別によって発症の仕方が異なる疾患）」と呼ばれる。アレル特異的遺伝子編集の対象となるのは、顕性遺伝であり、遺伝性疾患の過半を占めるとされている。これは OMNI プラットフォームを活用したゲノム編集による治療法の開発領域が非常に広いことを意味する。Emendo の調べによれば、遺伝性疾患の治療薬の市場規模は全体で約 2 兆円、このうち約 1.1 兆円が OMNI プラットフォームの対象領域になり得ると見ており、潜在的な成長ポテンシャルは大きい。ゲノム編集技術を用いた開発が活発化するなかで、OMNI プラットフォームへの注目も一段と高まることが期待される。

Anocca とのライセンス契約適用範囲の拡大を決定

2. 事業戦略

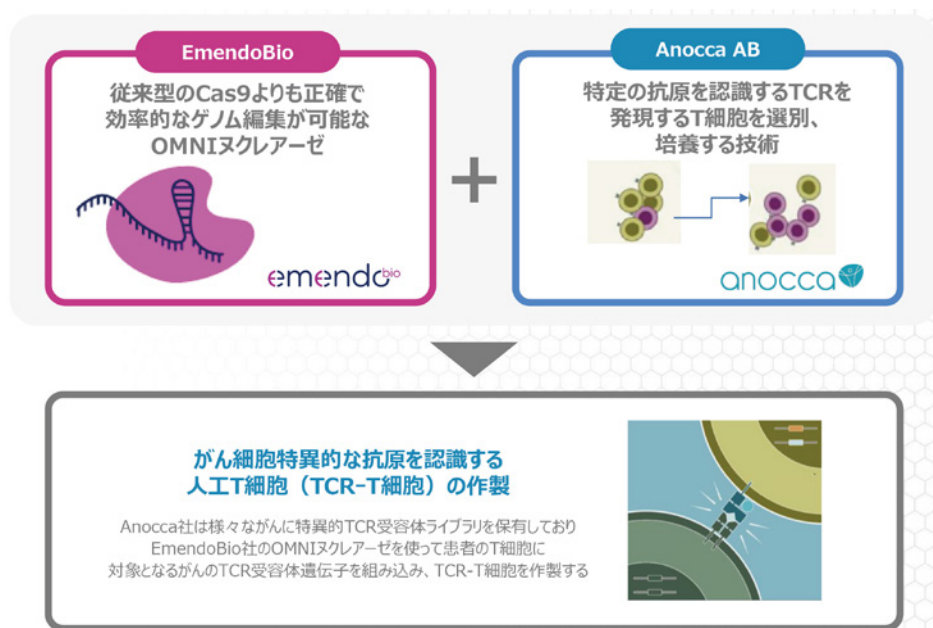
Emendo は 2024 年に事業構造改革を実施し、イスラエルの紛争長期化もあって現在はゲノム編集技術に関する研究者と IT エンジニアで 20 数名程度の体制となっている。事業戦略としては財務状況を踏まえ、これまで開発してきた 250 を超える OMNI ヌクレアーゼや OMNI プラットフォームのライセンス活動に集中している。

ライセンス契約に関しては、2024 年 3 月にがん免疫療法の一つである TCR-T 細胞療法^{※1}の開発で業界をリードするスウェーデンの Anocca^{※2}と、OMNI-A4 ヌクレアーゼの使用権についての非独占的ライセンス契約を締結した。Anocca は OMNI-A4 ヌクレアーゼを用いて、難治性固形がんにおける KRAS タンパク質の変異を標的とした開発を進めている。また、2025 年 9 月には同ライセンス契約の適用範囲を拡大する契約を新たに締結した。今回の対象拡大により、Anocca は開発パイプライン拡充のためのさらなる製品開発に OMNI ヌクレアーゼを使用することが可能となる。これは Anocca が OMNI 技術の性能を高く評価した証左と言え、今後のライセンス活動にも好影響を与えるものと弊社では考えている。Emendo は Anocca から追加の契約一時金を受領するとともに、今後の進捗にあわせた追加のマイルストーンを受領する可能性がある。当初の契約では、契約一時金も含めてマイルストーンの総額が最大 100 百万 USD であったが、さらに膨らむことが予想される。なお、TCR-T 細胞療法では、Adaptimmune Therapeutics <ADAP>の開発したアフミトレスゲン オートルーセル(TECELRA)が転移性滑膜肉腫の一部を適応対象として、2024 年 8 月に米国で初めて製造販売承認を取得している。

※1 TCR-T 細胞療法とは、患者のリンパ球を採取し、がん抗原特異的な T 細胞受容体 (T-Cell Receptor) を T 細胞に導入して再び患者に輸注する遺伝子改変 T 細胞療法のこと、難治性固形がんでの開発が進められている。

※2 2014 年に設立されたバイオベンチャーで、科学者、エンジニア、ソフトウェア開発者を中心に従業員数は 100 名を超える。特定の抗原を認識する TCR を発現する T 細胞を選別、培養する技術を保有しており、複数のがん標的に対する TCR-T 細胞療法のライブラリーを持ち、40 を超える製品候補を抱えている。

TCR-T 細胞による治療



出所：決算説明資料より掲載

Emendo の開発状況

そのほかの企業との契約交渉については、現在複数の企業で OMNI プラットフォームの評価が行われている。欧州の大手製薬企業では 2025 年内にも技術評価を終える見通しで、ライセンス契約に発展する可能性があり、今後の動向が注目される。また、2025 年 1 月には米国スタンフォード大学と、ゲノム編集技術を用いた新規がん治療法の開発に関する共同研究契約を締結した。遺伝性の難治性乳がん治療について OMNI ノクレアーゼを用いた遺伝子治療の研究開発を進める（研究期間約 2 年、研究費約 130 万 USD を予定）。スタンフォード大学が持つ細胞への薬剤送達技術と Emendo のゲノム編集技術を組み合わせることで、がん放射線療法やがん免疫療法の効率を大幅に高める治療法の開発が期待される。2025 年 9 月よりスタンフォード大学に人材を配置し、共同研究を開始する。また、開発した技術の知的財産をスタンフォード大学とシェアするために必要となる拠点（小規模ラボ）を大学近辺に設ける予定だ。

■ ACRL の取り組み状況

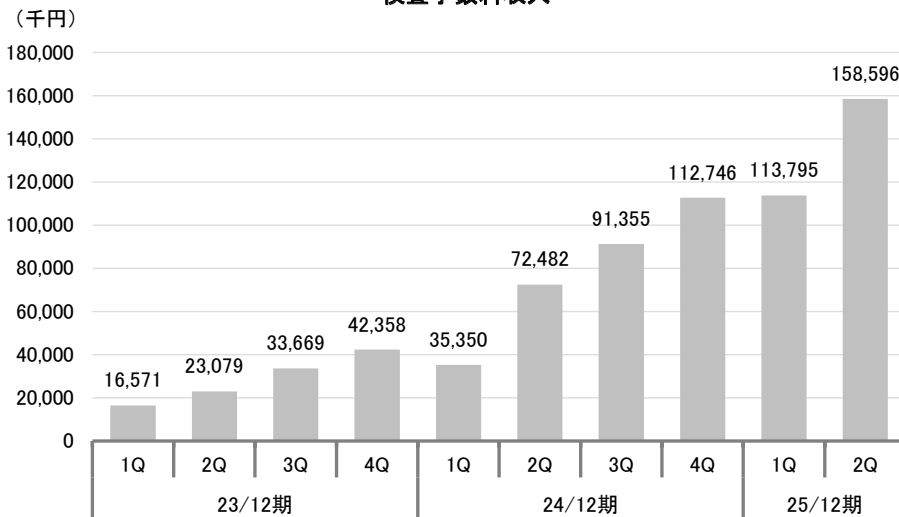
拡大新生児スクリーニング検査の設備能力増強は 2026 年以降となる見通し

ACRL が 2021 年 7 月より開始した希少遺伝性疾患の拡大新生児スクリーニング検査は、検査数が 2022 年 12 月期の約 1 万件から 2 倍増ペースで拡大を続けてきた。CReARID からの検査受託に加え、2024 年 8 月以降は群馬県や埼玉県、沖縄県などの地方自治体（またはその関連団体）からも受託を開始したことが要因で、四半期ベースの検査手数料収入推移を見ても右肩上がり成長している。2025 年からは新たに長野県からの受託も開始し、2025 年 12 月期中間期（2025 年 4 月～6 月）の売上高も前年同期比 2.2 倍増の 158 百万円と大幅に増加した。2025 年第 1 四半期比でも 39.4% 増と大きく伸長したが、これは検査件数の増加に加え、CReARID が 2025 年 3 月末で受託サービスを終了したことに伴い、直接クリニックから検査を受託するようになり、1 件当たりの単価が上昇したことも一因である。2025 年 12 月期の検査件数は期初計画どおり前期比 2 倍増の約 10 万件となる見通しだ。期初段階では下期に移転増床と設備投資を予定していたが、資金面の問題から 2026 年以降に先送りする可能性が高い。

アンジェス | 2025 年 9 月 30 日 (火)
4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

ACRL の取り組み状況

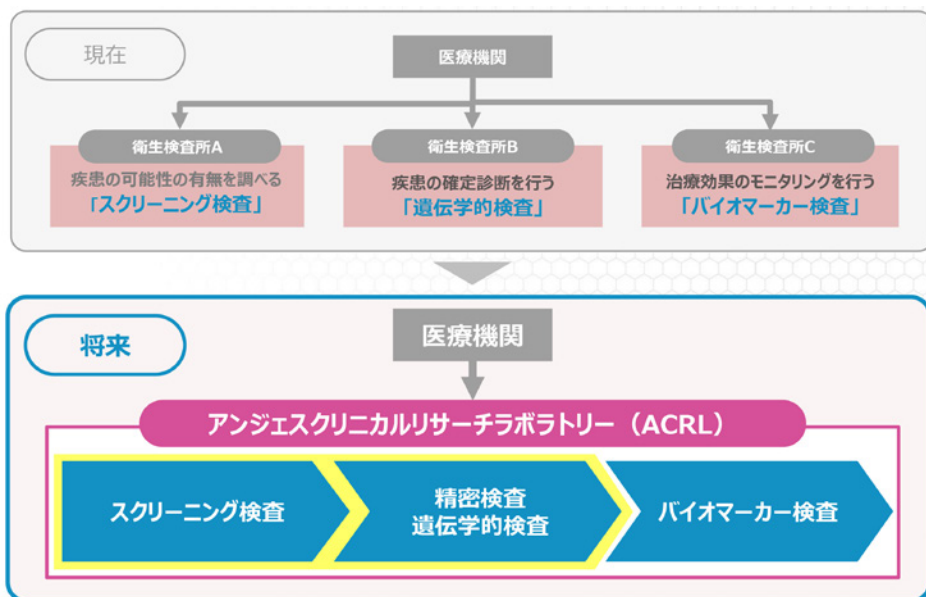
検査手数料収入



出所：決算短信よりフィスコ作成

同社は検査領域拡大の取り組みとして、2024 年 5 月より希少遺伝性疾患の遺伝学的検査（確定検査）を開始した。さらに、2025 年 9 月よりムコ多糖症の二次スクリーニング並びに経過観察、治療効果のモニタリングなどを目指すバイオマーカー検査についても開始し、希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供できる体制を構築した。従来、これらの検査をすべて行う検査所はなく、医療機関では異なる検査所に依頼する必要があり手間が掛かっていたため、同社の検査所を活用することで利便性も向上する。同社にとっても、これら希少遺伝性疾患に関する検査を多く行うことで、新たな治療薬候補品を見出す機会が増えるものと考えており、今後も同事業については継続的に取り組む方針だ。

希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供



出所：決算説明資料より掲載

業績動向

Emendo 関連費用削減により 2025 年 12 月期中間期の営業損失は大幅縮小

1. 2025 年 12 月期中間期の業績概要

2025 年 12 月期中間期の事業収益は前年同期比 19.4% 増の 414 百万円、営業損失は 2,400 百万円（前年同期比 2,707 百万円減）、経常損失は 3,898 百万円（同 708 百万円増）、親会社株主に帰属する中間純損失は 3,966 百万円（同 465 百万円増）となった。

事業収益は、前年同期に Anocca から受領した契約一時金等による研究開発事業収益 76 百万円や「コラテジェン」の売上 11 百万円がなくなったことに加え、「ゾキンヴィ」の売上が前年同期比 9 百万円減少の 142 百万円となったものの、希少遺伝性疾患に関するオプションスクリーニング検査の手数料収入が同 164 百万円増加の 272 百万円と急増したことで増収となった。

売上原価は前年同期比 55 百万円増加の 254 百万円となった。「ゾキンヴィ」の商品仕入原価が 7 百万円、「コラテジェン」の製品原価が 8 百万円それぞれ減少した一方で、検査手数料収入の増加に伴う売上原価が 70 百万円増加した。なお、「ゾキンヴィ」の仕入れについては円建て決済のため、為替変動の影響を受けない。

研究開発費は前年同期比 689 百万円減少の 1,555 百万円となった。Emendo の事業再編に伴う人員の減少により人件費関連が 106 百万円減少したほか、前年同期に評価損を計上した反動で研究用材料費が 529 百万円減少した。また、Vasomune と共同開発中の「AV-001」の治験費用減少に伴い外注費が 64 百万円減少した。販管費は同 2,005 百万円減少の 1,004 百万円となった。前期末に Emendo に関わるのれんを一括で減損処理したことに伴い、のれん償却額がなくなり 1,668 百万円の減少要因となったほか、Emendo の人員減少に伴い人件費関連が 176 百万円減少した。また、Emendo における弁護士やコンサルタント等への報酬減少により支払手数料も 86 百万円減少した。

営業外収支は前年同期比 3,415 百万円悪化した。Emendo への US ドル建て貸付金に対する貸倒引当金の評価替えの影響により、為替差損 1,491 百万円（前年同期は為替差益 1,916 百万円）を計上したほか、Vasomune の開発プロジェクトに関わる補助金収入がなくなったこと（同 27 百万円を計上）が悪化要因となった。なお、前年同期は特別損失として Emendo の研究開発部門再編に伴う事業構造改革費用 230 百万円を計上していた。

業績動向

2025 年 12 月期中間期業績（連結）

（単位：百万円）

	24/12 期 中間期 実績	25/12 期中間期			主な変動要因
		実績	増減率	増減額	
事業収益	347	414	19.4%	67	ACRL 検査手数料収入 (+164 百万円)、 ゾキンヴィ (-9 百万円)、コラテジェン (-11 百万円)、 契約一時金 (-76 百万円)
事業費用	5,455	2,815	-48.4%	-2,640	
売上原価	199	254	27.6%	55	ACRL (+70 百万円)、ゾキンヴィ (-7 百万円)、 コラテジェン (-8 百万円)
研究開発費	2,245	1,555	-30.7%	-689	研究用材料費 (-529 百万円)、 Emendo の事業再編 (-106 百万円)、 外注費 (-64 百万円)
販管費	3,009	1,004	-66.6%	-2,005	のれん償却額 (-1,668 百万円)、 Emendo の事業再編に伴う報酬 (-176 百万円)、 支払手数料 (-86 百万円)
営業損失	-5,107	-2,400	-	2,707	
経常損失	-3,190	-3,898	-	-708	為替差損益 (-3,407 百万円)、補助金収入 (-27 百万円)
特別損益	-227	0	-	227	事業構造改革費用 (-230 百万円)
親会社株主に帰属する 中間純損失	-3,500	-3,966	-	-465	

出所：決算短信よりフィスコ作成

2025 年 12 月期の営業損失は計画よりもやや縮小する可能性

2. 2025 年 12 月期の業績見通し

2025 年 12 月期の業績は事業収益で 1,350 百万円（前期比 706 百万円増）、営業損失で 5,800 百万円（同 3,309 百万円減）、経常損失で 5,820 百万円（同 1,717 百万円減）、親会社株主に帰属する当期純損失で 5,850 百万円（同 22,278 百万円減）と期初計画を据え置いた。

事業収益は、ACRL における検査手数料収入や「ゾキンヴィ」の売上をそれぞれ約 2 倍増で見込んでいる。「ゾキンヴィ」については卸会社への納品のタイミングによって変動する可能性があるが、検査手数料収入については計画どおり達成できる見通しだ。Anocca からの追加の契約一時金が下期に計上されるものの、中間期の進捗率が 30.7% となっており、新たなライセンス契約などがなければ計画をやや下回る可能性が高い。

下期の費用計画については、HGF 遺伝子治療用製品の米国での承認申請に向けた準備費用で研究開発費が中間期に対してやや増加するものの、その他の販管費については中間期並みの水準となる見通しだ。営業損失の通期計画に対する中間期までの進捗率は 41.4% となっていることから、通期の損失額は計画よりもやや縮小することが見込まれる。一方、経常損失については期末の為替レートの水準によって変動することになるが、キャッシュ・フローへの影響はない。

業績動向

2025 年 12 月期連結業績見通し

(単位：百万円)

	24/12 期 実績	25/12 期		中間期 進捗率
		会社計画	増減額	
事業収益	643	1,350	706	30.7%
営業損失	-9,109	-5,800	3,309	41.4%
経常損失	-7,537	-5,820	1,717	67.0%
特別損益	-20,105	0	20,105	
親会社株主に帰属する当期純損失	-28,128	-5,850	22,278	67.8%
為替レート (円 / US ドル)	151	150		

出所：決算短信、外務省資料よりフィスコ作成

当面の事業活動資金は株式市場から調達する方針

3. 財務状況について

2025 年 12 月期中間期末の財務状況は、資産合計が前期末比 1,117 百万円増加の 5,786 百万円となった。流動資産では、第三者割当による第 45 回新株予約権の行使が進んだことにより現金及び預金が 1,200 百万円増加した。固定資産は、有形固定資産が 12 百万円、投資有価証券が 31 百万円、繰延税金資産が 37 百万円それぞれ減少した。

負債合計は前期末比 127 百万円減少の 2,384 百万円となった。買掛金が 74 百万円、リース債務が長短あわせて 73 百万円、事業構造改革引当金が 21 百万円それぞれ減少し、未払法人税等が 31 百万円増加した。純資産合計は同 1,245 百万円増加の 3,402 百万円となった。第 45 回新株予約権の行使により、資本金が 1,895 百万円、資本剰余金が 1,895 百万円それぞれ増加したほか、為替換算調整勘定が 1,468 百万円増加し、親会社株主に帰属する中間純損失の計上により利益剰余金が 3,966 百万円減少した。

同社の収益は開発ステージにあることから当面は損失が続く可能性が高い。このため、事業活動資金については株式市場から調達する方針である。2025 年 7 月から 8 月にかけて第 45 回新株予約権の未行使分がすべて行使され、新たに 1,963 百万円を調達した。2025 年 6 月末の現金及び預金とあわせると 4,871 百万円となり、今後 1 期程度の事業活動資金を蓄えたことになる。2026 年以降は、HGF 遺伝子治療用製品の販売パートナー契約の締結時期や契約額の規模によって変わってくる。同製品の米国での潜在市場規模が弊社の想定している 1 千億円以上で評価されれば、契約一時金だけで 100 億円以上のディールとなる可能性も十分にあり、資金面の不安は一気に解消されることになる。このため、今後のライセンス交渉や、その前段階として学術誌に掲載される臨床試験結果に関する論文の内容が注目される。

業績動向

連結貸借対照表及び経営指標

(単位：百万円)

	22/12 期	23/12 期	24/12 期	25/12 期 中間期	前期末比増減
流動資産	12,896	5,921	3,542	4,728	1,186
（現金及び預金）	11,035	4,160	1,707	2,908	1,200
固定資産	25,924	22,971	1,125	1,057	-68
（のれん）	23,254	21,746	-	-	-
資産合計	38,820	28,892	4,668	5,786	1,117
負債合計	8,395	2,789	2,512	2,384	-127
（前受金）	5,764	637	639	639	0
純資産合計	30,425	26,103	2,156	3,402	1,245
< 経営指標 >					
自己資本比率	78.1%	90.0%	44.0%	57.5%	13.5pp

出所：決算短信よりフィスコ作成

今後の成長戦略

遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は主力開発品である HGF 遺伝子治療用製品の米国における開発が大きく前進し、生物製剤認可申請に向けて準備を進めることを決定したことを機に、これからの 10 年、20 年後を見据えて企業理念の見直しを実施し、「ミッション（使命・存在意義）」「ビジョン（目標）」「バリュー（行動指針）」を再定義した。

具体的には、遺伝子の力を活用した遺伝子医薬の開発やゲノム編集技術など次世代技術を用いた治療法の研究・開発に注力することで、希少疾患や難治性疾患に苦しむすべての人に治療の機会を届けることを「ミッション」とした。また「ビジョン」として、遺伝子医薬とゲノム編集の分野で世界をけん引する存在として、複数の革新的治療法をグローバルに展開し、世界中の人々の QOL 向上に貢献する遺伝子医薬のグローバルリーダーになることを目指す。この「ビジョン」を実現するために、変化を恐れずチャレンジ精神を持ち続け、すべてのステークホルダーとのネットワークを大切にすること、また、常に最先端の研究成果と考え方を取り入れ、新技術と製品価値観の創生に最高の倫理観とスピード感をもって取り組むことを「バリュー」として定義した。

同社は、グローバル化に向けた組織強化や人材育成、並びにプラットフォーム技術の深化と拡大に取り組みながら、1) HGF 遺伝子治療用製品の製品価値最大化、2) パイプラインの継続的拡大、3) 欧米を中心としたグローバル展開の推進、4) 検査事業も含めた希少遺伝性疾患への取り組み強化などによって、収益成長と企業価値向上を目指す方針だ。希少遺伝性疾患の検査事業を行うことで同疾患領域での新たな開発品候補を見出し、Emendo の OMNI プラットフォームを活用して治療薬を開発する好循環を作り出すことができれば、「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になるというビジョンを実現する可能性も高まるだけに、今後の展開が注目される。

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、企業から報酬を受け取って作成されています。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、配布等することは強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