

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 >>>](#)

2026年3月26日(木)

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	05
1. HGF遺伝子治療用製品	05
2. NF- κ BデコイオリゴDNA	09
3. ARDS治療薬 (Tie2受容体アゴニスト化合物)	10
■ EmendoBioの開発状況	12
1. ゲノム編集技術とOMNIプラットフォームの特徴	12
2. 事業戦略	13
■ ACRLの取り組み状況	15
■ 業績動向	16
1. 2025年12月期の業績概要	16
2. 2026年12月期の業績見通し	18
3. 財務状況について	18
■ 今後の成長戦略	20

■ 要約

HGF遺伝子治療用製品の2027年上市に向けた準備が着々と進む

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ある。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.を子会社化したほか、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）」を開設し、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

同社は2025年8月、主要パイプラインのHGF遺伝子治療用製品について、米国で実施した後期第2相臨床試験の良好な結果を基に米国食品医薬品局（以下、FDA）に生物製剤認可申請（BLA申請）を行い、上市を目指す方針を発表した。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・製造契約を締結した。スケジュールとしては、2026年内にBLA申請を行い、2027年後半の上市を目指す。また、大手製薬企業との販売ライセンス交渉は2026年4月以降、候補企業を4社程度に絞り込んだうえで本格的に行う予定で、BLA申請完了までに契約締結を目指す。同社は調査会社から同疾患の米国内の対象患者数が年間で約50万人と報告を受けており、このうち1割程度に投与されたと仮定すると売上ポテンシャルは1千億円を超える規模になると弊社では見ている。なお、年間5万人分の治療薬を供給するため、原薬の調達量拡大に向けた検討もしているようだ。

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、被験者の選定を精緻に行っているため登録ペースがやや遅れ気味となっている。このため、登録完了時期は2026年後半、トップラインデータの発表は2027年末頃となりそうだ。その後の開発方針については開発パートナーの塩野義製薬<4507>との協議次第となる。

カナダのVasomune Therapeutics, Inc.（以下、Vasomune）と共同開発を進める「AV-001」は、ウイルス性及び細菌性肺炎を含む急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を適応症とした北米での前期第2相臨床試験が2026年第1四半期に完了し、同年夏頃にトップラインデータが発表される見込みである。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治験を開始することも決定し、同年1月に最初の被験者が登録された。

子会社のEmendoBio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ヌクレアーゼに関する非独占的使用権契約の適用範囲を拡大する契約を新たに締結した。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、2026年に「OMNI-A4」を用いた臨床試験を開始する見込みであり、マイルストーン収入の計上を見込んでいる。また、海外製薬企業2社がOMNIヌクレアーゼの技術評価を進めており、2026年内に新たなライセンス契約が決まる可能性もある。

要約

3. 業績動向

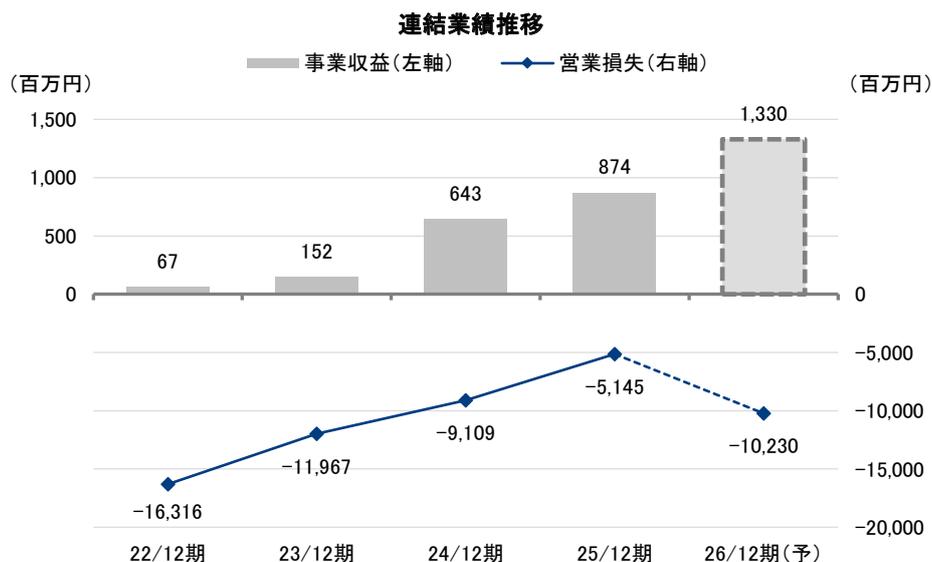
2025年12月期の業績は事業収益で874百万円(前期比230百万円増)、営業損失で5,145百万円(同3,964百万円減)となった。事業収益はACRLの検査件数拡大が増収要因となった。費用面では、EmendBioに関わるのれん償却額3,322百万円がなくなったほか、人件費や支払手数料等が減少し、損失額が大幅に縮小した。

2026年12月期は事業収益で1,330百万円(前期比456百万円増)、営業損失で10,230百万円(同5,085百万円増)と再び損失額が拡大する見通しである。「ゾキンヴィ」の売上増加により事業収益は増収となるが、HGF遺伝子治療用製品の原薬製造費用や米国での申請準備費用等の計上による研究開発費の増加が損失拡大要因となる。ただ、これらの費用は将来の収益を獲得するための先行投資負担であり、前向きに捉えることができる。HGF遺伝子治療用製品に関するライセンス契約一時金は計画に織り込んでおらず、仮に契約が締結された場合には相応の上方修正が期待できることになる。

2025年12月末の現金及び預金残高は1,882百万円だが、新株予約権の行使や私募債の発行等により今後の事業活動に必要な資金を調達する方針だ。なお、同社はHGF遺伝子治療用製品が上市した場合の市場価値に対して現状の企業価値(時価総額で200億円程度)が低すぎると考えており、今後買取りリスクが上昇することを想定し買収防衛策を2026年2月に導入した。

Key Points

- ・ HGF遺伝子治療用製品の売上ポテンシャルは米国だけで1千億円を上回る
- ・ ARDSを対象とした「AV-001」の臨床試験結果は2026年夏頃に発表予定
- ・ OMNI技術供与先の開発パイプラインで2026年の臨床試験入りを見込む
- ・ 私募債の発行により安定した資金調達を可能とし、買収防衛策も導入



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)による血管新生作用の研究成果を事業化するを目的に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や、米国で実施した後期第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、田辺三菱製薬との日米における独占的販売権許諾契約を解消した(解消日は日本が2024年11月、米国が2025年2月)。

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月に塩野義製薬と国内での第2相臨床試験に関する契約を締結し、同年10月より試験を開始した。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}、2024年1月に製造販売承認を取得し、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(プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー)もLMNA遺伝子や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Sentrynl 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Vasomuneと共同開発契約を締結し(2023年に273百万円を出資)、ARDS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EmendoBio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、オプショナルスクリーニング検査の受託サービスを開始した。

^{*} CReARIDは2025年3月末にオプショナルスクリーニング検査の受託サービスを終了したが、アンジェスが引き継いで受託している。

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、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」を開発の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、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疾患が確定した患者が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遺伝子治療用製品の売上ポテンシャルは米国だけで1千億円を上回る

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月に治験担当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 Ltd.	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 Co., Ltd.	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~2021年)。2025年5月に脊椎疾患専門学術誌「The Spine Journal」で論文発表
	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 Therapeutics, Inc.	ARDS	2018年7月にVasomuneと共同開発契約を締結、北米で前期第2相臨床試験を2022年1月より開始(予定症例数60例)

出所：決算説明資料よりフィスコ作成

1. HGF遺伝子治療用製品

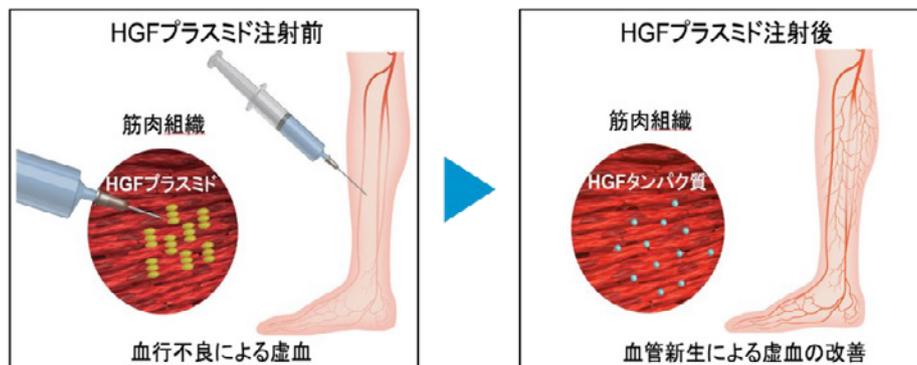
HGF遺伝子治療用製品は、血管新生作用を活用して、症状が進行した慢性動脈閉塞症患者向け治療薬として開発が進められてきた。慢性動脈閉塞症は、血管が閉塞し血流が滞ることで組織が潰瘍・壊疽を起こし、最終的に下肢切断を余儀なくされることもある重篤な疾患である。現在の治療法としてはカテーテル治療や血管バイパス手術などが行われているが、手術ができないケースも多く、新たな治療法の開発が求められている。

主要開発パイプラインの動向

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))。

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※や治験担当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。治験担当医師の、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 Guideline: 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。

主要開発パイプラインの動向

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

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ヶ月時点で完全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(以下、AHA)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ヶ月時点で完全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。

なお、治験結果の内容については治験担当医師によって作成された論文が、2025年11月にAHAが発行する有力学術誌の「Circulation: Cardiovascular Interventions」※に掲載された。具体的な内容として、治癒までの期間が本剤で84日だったのに対して、プラセボ群では280日であったこと(p=0.007)、6ヶ月時点で完全治癒した割合は本剤が63.3%だったのに対して、プラセボ群は38.5%であったこと(p=0.053)、12ヶ月時点で治癒した潰瘍の割合は本剤が77.6%であったのに対して、プラセボ群は46.2%であったこと(p=0.010)が試験結果で確認された。以上から、HGF遺伝子治療用製品は中等度のCTLI患者の潰瘍完治までの期間を優位に短縮し、有望な非外科的治療法となる可能性がある」と結論付けている。

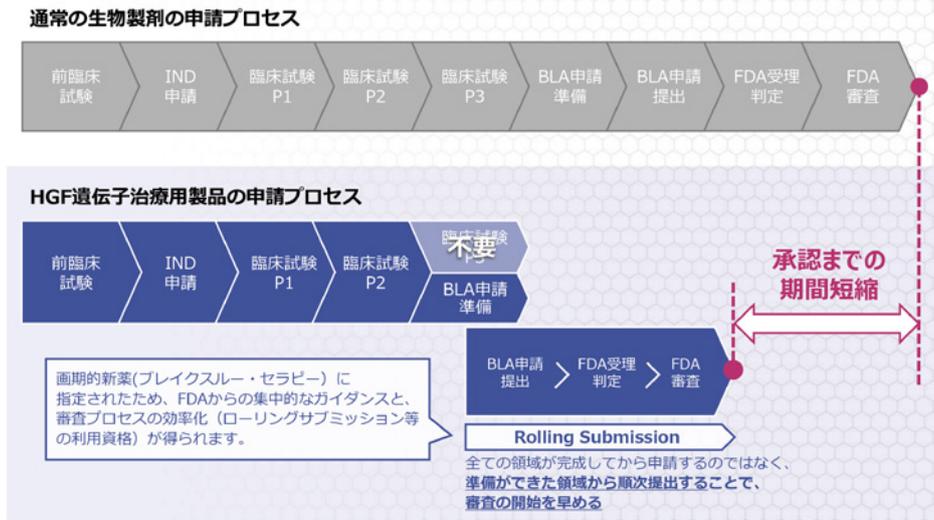
※ 心臓や血管の病気に対して、カテーテルなどを用いて行う低侵襲な治療法を研究・実践する分野である心血管インターベンション分野に特化した査読付きの学術誌であり、ほかの学術誌に掲載される論文にも参照論文として引用される機会が多く、影響力の大きい一流学術誌として評価されている。

主要開発パイプラインの動向

米国での今後の開発方針については、臨床試験を完了とし、BLA申請に向けた準備を進めることを2025年8月に決定した。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パーリンガーと、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、上市するとなれば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ため、それまでに一定の時間と投資資金を要することになる。パーリンガーでは、2026年内に予定されるBLA申請に向けて、製剤、製造方法及び品質管理に関するCMC (Chemistry, Manufacturing and Controls) を構築する計画である。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、BLA申請書類は準備ができた領域から順次提出することが可能である。同社では2026年第2四半期に最初の申請書類をFDAに提出し、パーリンガーの原薬製造に関わるCMC情報を最終申請書類として2027年第1四半期に提出することを想定している。このため、順調に進めば2027年の第3四半期に販売承認を取得し、2027年内に上市できる可能性がある。

※ 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。

BLA申請プロセス



出所：決算説明資料より掲載

販売パートナーとのライセンス交渉については、2026年4月以降本格的に開始し、可能であれば2026年内に契約締結まで行いたい考えだ。当初は米国での臨床試験に関する論文の詳細版(2026年1月発表)をもってライセンス活動を本格化させる予定であったが、3月に株主総会を挟むことやBLA申請書類の内容もある程度まとめたうえで相手先と交渉したほうが効率的と考えたためだ。候補企業としては10社程度あったが、最終的には疾患が重なるケースの多い糖尿病治療薬の大手2社と、循環器領域で豊富な実績を持つ大手2社の4社に絞って交渉を進める予定で、米国専門医の協力も得ながら契約締結を目指す。交渉期間としては半年程度を想定している。契約締結に成功した場合は、契約一時金、マイルストーン収入、上市後の販売に関わるロイヤリティ収入を得られることになる。

主要開発パイプラインの動向

契約一時金やマイルストーン収入については、ピーク時売上高を基に一定率を乗じて算出するケースが多い。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50万人と見られており（日本では5千人～2万人）、このうち約1割程度の5万人が使用し、これに国内で設定されていた薬価（約61万円/1瓶（4mg））×4回を掛け合わせた。年間5万人分の治療薬を供給するため、原薬の調達量拡大に向けた検討もしているようだ。なお、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。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り、同社の業績も飛躍的に成長するものと期待される。

慢性椎間板性腰痛症の第2相臨床試験結果は2027年末頃の発表を想定

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-κB）に対する特異的な阻害剤である。NF-κB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-κBデコイオリゴDNAを細胞内に入れることで、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-κB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-κB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※を対象に開始した。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、その後に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おり、登録完了時期は2026年後半となる見通しだ。当初の想定よりも若干遅れ気味となっているが、できるだけ良好な結果が得られるよう被験者の選定を精緻に行っているためだ。このため、臨床試験結果の発表は最短で2027年末頃になると想定される。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)の結果については、2025年5月に脊椎疾患専門の学術誌「The Spine Journal」^{*}で論文が発表された。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した症例がなく、鎮痛効果が持続していることも示唆された。詳細を見ると、同投与群のうち半数の患者については痛みがほぼ完全に消失した。また、椎間板の高さもプラセボ群では減少したのに対し、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も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の対症療法が一般的に行われているが、NF-κBデコイオリゴDNAは単回投与で少なくとも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年末頃に発表される臨床試験結果が注目される。

ARDSを対象とした「AV-001」の臨床試験結果は2026年夏頃に発表予定

3. ARDS治療薬(Tie2受容体アゴニスト化合物)

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きたが、同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ため、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)、臨床試験を進めてきた。投与量は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12月時点で当初予定の60例の登録は完了したが、脱落症例に対応する追加の登録を実施しており、2026年第1四半期にすべての登録が完了する見通しだ。トップラインデータの発表は2026年夏頃となる見通しで、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が得られる場合には、独自で臨床試験を進める可能性もある。「AV-001」は2024年5月に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である。

※ 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、「AV-001」は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が新たに始まり、2026年1月に最初の被験者が登録された。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%において細胞毒性脳浮腫が発現し、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して血管を安定化させ、血管漏出や炎症を抑制することで細胞毒性脳浮腫を軽減し、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。

今回の医師主導治験の開始に伴い、同社はVasomuneと「AV-001」の適応疾患拡大の契約を、2025年11月に締結した。同契約に基づき、2025年内に1百万USドル、2026年から2027年にかけて3百万USドルを支払うことになるが、同疾患向け治療薬として導出の決定や上市に成功した場合には、同社もその対価を一部得られることになる。

■ EmendoBio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

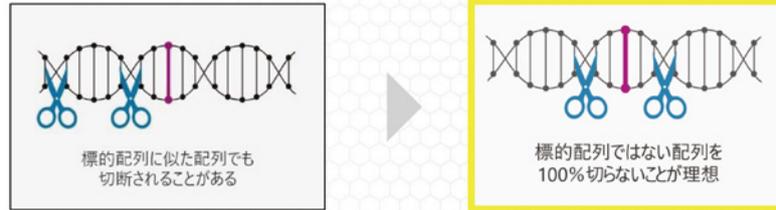
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断するDNA切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、ねらった遺伝子を改変する技術を指す。2012年に従来より短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できるCRISPR/Cas9（クリスパーキャスナイン）と呼ばれる革新的な技術が登場したことで、製薬業界においてもゲノム編集技術を用いて新薬の開発を行う動きが活発化した。米国Vertex Pharmaceuticals Inc.<VRTX>とスイスのCRISPR Therapeutics<CRSP>が同技術を用いて共同開発した鎌状赤血球貧血症※を適応症とした治療薬が、2023年に英国と米国で初めて承認された。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に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、腎不全や心不全を引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。

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、依然として非特異的にゲノムを切断してしまうオフターゲット効果の懸念は残っている。これに対して、EmendoBio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。

EmendoBioの開発状況

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、もう一つの特徴としてアレル特異的遺伝子編集が可能点が挙げられる。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。EmendoBio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。

OMNI技術供与先の開発パイプラインで2026年の臨床試験入りを見込む

2. 事業戦略

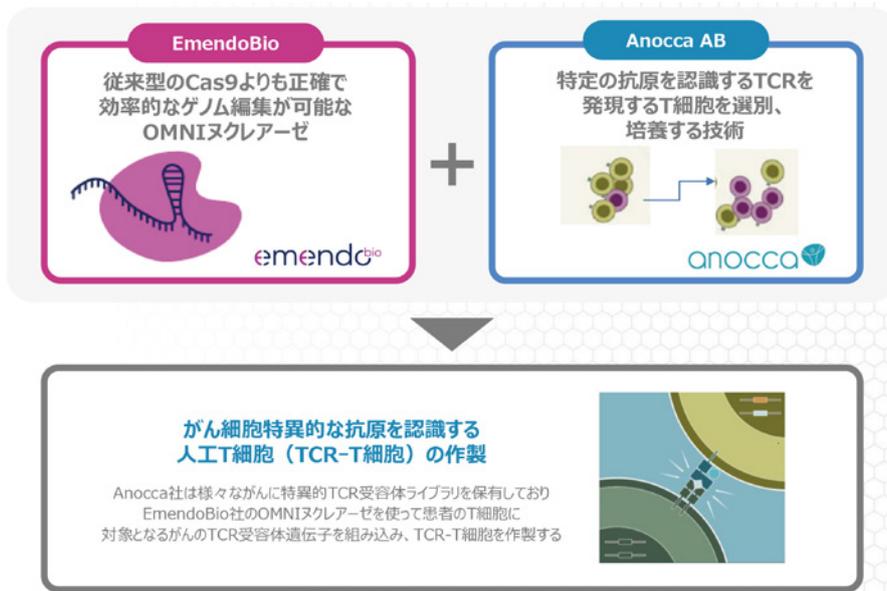
EmendoBioはイスラエルの紛争長期化もあって2024年に事業構造改革を実施し、現在はゲノム編集技術に関する研究者とITエンジニアで20名程度の体制である。事業戦略としては財務状況を踏まえ、これまで開発してきた250を超えるOMNIヌクレアーゼやOMNIプラットフォームのライセンス活動に集中している。

EmendoBioの開発状況

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ことに合意したことを発表した。AnoccaではOMNI技術を高く評価しており、今後の開発パイプラインにもOMNIヌクレアーゼを積極的に活用していくものと見られる。Anoccaでは2026年にもOMNI-A4を用いた開発パイプラインの臨床試験を開始する予定で、マイルストーン収入が見込まれる。なお、当初の契約では契約一時金も含めてマイルストーンの内総額が最大100百万USDドルであったが、ライセンス契約の適用範囲を拡大したことでさらに膨らむ可能性がある。なお、TCR-T細胞療法では、Adaptimmune Therapeutics<ADAP>の開発したアフアミトレスゲン 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

EmendoBioの開発状況

そのほかの企業との契約交渉については、現在スイスの製薬企業1社でOMNIプラットフォームの技術評価試験を進めているようで、高評価が得られれば2026年内にもライセンス契約に発展する可能性がある。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、スタンフォード大学が持つ細胞への薬剤送達技術と、EmendoBioのOMNIヌクレアーゼを使ってがん細胞特異的にゲノム編集を行い、がん細胞の治療抵抗性を低下させることにより、がん細胞のみを死滅させる新たな治療法の開発を目指している（研究期間約2年、研究費約130万USドルを予定）。2026年末頃に研究成果を論文として発表する予定だ。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、必要となる拠点（小規模ラボ）を大学近辺に設ける予定だ。OMNIヌクレアーゼの開発については、今後コンピュータサイエンスの技術力が必要となるが、スタンフォード大学には同領域で優秀なエンジニアが豊富に在籍しており、将来的にはこれら人材をリクルートして米国に研究開発拠点を移すことも検討している。

■ ACRLの取り組み状況

スクリーニング検査から確定検査、バイオマーカー検査へと領域を拡大

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倍増ペースで拡大し、2025年12月期は約9万件を受託した。CReARIDからの検査受託に加え、2024年8月以降は群馬県、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だ。2025年からは新たに長野県からの受託を開始したほか、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件当たりの単価も上昇した。ただ、検査機器や人的リソース面で処理能力が上限に達している状況にあり、2026年12月期においては微増にとどまる見通しだ。能力増強投資については、HGF遺伝子治療用製品の上市を経営の最優先課題として資金を投下する計画のため、実施時期については財務状況などを見極めて決定する方針だ。

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2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的とした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かかっていたため、同社の検査所を活用することで利便性も向上する。確定検査やバイオマーカー検査の件数そのものは圧倒的に少なくなるため、業績への直接的なインパクトは軽微だが、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ため、今後も同事業への取り組みを継続する。

ACRLの取り組み状況

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

EmendoBio関連の費用減で2025年12月期の損失額は大幅縮小

1. 2025年12月期の業績概要

2025年12月期の事業収益は874百万円（前期比230百万円増）、営業損失は5,145百万円（同3,964百万円減）、経常損失は5,288百万円（同2,249百万円減）、親会社株主に帰属する当期純損失は5,123百万円（同23,005百万円減）となった。

業績動向

2025年12月期連結業績

(単位：百万円)

	24/12期	25/12期		計画比 増減額	前期比 増減額	主な変動要因 (カッコ内は前期比増減額)
	実績	修正計画※	実績			
事業収益	643	880	874	-5	230	検査手数料収入242百万円増加、 「ゾキンヴィ」58百万円増加、 研究開発事業収益59百万円減
売上原価	395	-	553	-	157	検査売上原価100百万円増、 「ゾキンヴィ」商品仕入原価65百万円増
研究開発費	3,783	-	3,553	-	-230	研究用材料費526百万円減、 外注費325百万円増
販管費	5,573	-	1,912	-	-3,661	のれん償却3,322百万円減、 Emendo関連の報酬201百万円減、 Emendo関連の支払手数料140百万円減
営業利益	-9,109	-6,270	-5,145	1,124	3,964	
経常利益	-7,537	-6,290	-5,288	1,001	2,249	為替差損益1,812百万円減
特別損益	-20,105	-	52	-	20,158	Emendoののれん及び 使用権資産の減損損失20,048百万円減
親会社株主に帰属する 当期純利益	-28,128	-6,320	-5,123	1,196	23,005	

※ 2025年10月27日付の修正計画

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業収益は、前期にAnoccaから受領した契約一時金等による研究開発事業収益が59百万円減少したほか、「コラテジェン」の売上11百万円がなくなったものの、「ゾキンヴィ」の売上が同58百万円増加の302百万円、希少遺伝性疾患に関する拡大新生児スクリーニング検査の手数料収入が同242百万円増加の554百万円となり増収要因となった。

売上原価は前期比157百万円増加の553百万円となった。主に「ゾキンヴィ」の商品仕入原価が65百万円、スクリーニング検査手数料収入の増加に伴う売上原価が100百万円それぞれ増加した。なお、「ゾキンヴィ」の仕入原価が増収額よりも増加したのは、2026年以降の売上増に対応するため第4四半期に仕入高を増やしたことが要因だ。仕入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。

研究開発費は前期比230百万円減少の3,553百万円となった。HGF遺伝子治療用製品の米国における開発費用及び申請準備に関わる費用の増加により、外注費が325百万円増加した一方で、前期に計上した使用期限切れによる在庫廃棄損や「コラテジェン」の在庫評価損がなくなったことにより研究用材料費が526百万円減少した。販管費は3,661百万円減少の1,912百万円となった。前期末にEmendoBio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3,322百万円がなくなったほか、EmendoBioの人員減少に伴い人件費関連が201百万円減少した。また、EmendoBio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140百万円減少した。

営業外収支は前期比1,714百万円悪化した。EmendoBioへのUSドル建て貸付金(約1億USドル)の期末評価替え※に伴い、為替差損220百万円(前期は為替差益1,591百万円)を計上したことが主因だ。また、前期に特別損失として計上したEmendoBioに関わるのれん及び使用権資産の減損損失20,048百万円がなくなったことが損失額の大幅縮小要因となった。

※ 2024年12月末の為替レート157円/USドルに対して2025年12月末は156円/USドル。

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遺伝子治療用製品の上市に向けた先行費用計上で 2026年12月期は損失拡大の見込み

2. 2026年12月期の業績見通し

2026年12月期の事業収益は1,330百万円（前期比456百万円増）、営業損失は10,230百万円（同5,085百万円増）、経常損失は10,240百万円（同4,952百万円増）、親会社株主に帰属する当期純損失は10,250百万円（同5,127百万円増）を計画している。

2026年12月期連結業績見通し

（単位：百万円）

	25/12期 実績	26/12期 会社計画	前期比 増減額
事業収益	874	1,330	456
営業利益	-5,145	-10,230	-5,085
経常利益	-5,288	-10,240	-4,952
親会社株主に帰属する 当期純利益	-5,123	-10,250	-5,127

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業収益は、「ゾキンヴィ」の売上が投与患者数の増加により前期比1.5倍増となるほか、Anoccaの開発パイプラインが臨床試験入りすることによるマイルストーン収入の計上が主な増収要因となる。拡大新生児スクリーニング検査の手数料収入については、能力面の制約により微増にとどまる見通しである。

一方、費用については販管費が前期並みの水準となるものの、HGF遺伝子治療用製品の原薬製造費用や米国での申請準備費用を中心に研究開発費が55億円程度増加する見込みであり、損失拡大要因となる。ただ、これらの費用は将来の収益獲得のための先行投資と位置付けられ、前向きな費用であると捉えられる。HGF遺伝子治療用製品に関するライセンス契約一時金は計画に織り込んでおらず、仮に契約が締結された場合には相応の上方修正が期待できることになる。

私募債の発行により安定した資金調達を可能とし、買収防衛策も導入

3. 財務状況について

2025年12月期末の財務状況は、資産合計が前期末比737百万円増加の5,405百万円となった。流動資産では、第三者割当による新株予約権の行使を進めたことにより、現金及び預金が174百万円増加の1,882百万円となったほか、HGF遺伝子治療用製品の原薬購入により原材料及び貯蔵品が308百万円増加し、原薬の製造委託費用を前払いしたことにより前渡金が292百万円増加した。固定資産は、有形固定資産が36百万円、投資有価証券が23百万円、繰延税金資産が61百万円それぞれ減少した。

業績動向

負債合計は前期末比182百万円減少の2,329百万円となった。棚卸資産の購入により買掛金が235百万円増加した一方で、EmendoBioの社屋に関するリース契約の一部解約によりリース債務が218百万円減少したほか、未払法人税等が98百万円、未払金が73百万円減少した。純資産合計は同919百万円増加の3,076百万円となった。新株予約権の行使により、資本金が2,972百万円、資本剰余金が2,973百万円増加した一方で、親会社株主に帰属する当期純損失の計上により利益剰余金が5,123百万円減少した。

同社の収益は開発ステージにあるため、HGF遺伝子治療用製品が上市するまでは損失が続く可能性が高い。このため、当面の事業活動資金は株式市場から調達する方針だ。2025年11月には第三者割当による第46回新株予約権を発行した。株式数に換算すると96,466千株で下限行使価額は40円に設定されている。当初行使価格の72円ですべて行使できたとすると調達額は6,921百万円となり、主にHGF遺伝子治療用製品の米国での申請準備を含めたグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用に充当する予定であるが、株価水準が低迷していることもあり行使が順調に進んでいるとは言えない状況にある。

2026年はHGF遺伝子治療用製品の上市に向けた先行費用が膨らむこともあり、安定した資金調達を行うべく最大2,737百万円の私募債を複数に分けて発行するスキームを発表した（割当先は第46回新株予約権と同じCantor Fitzgerald Europe）。2026年2月に初回の社債を発行し、700百万円の資金調達を行っている。次回以降は、直前に発行された社債がすべて償還された日の5営業日後を払込期日としている。私募債の償還資金は第46回新株予約権の行使によって充当する。このため、同新株予約権の下限行使価額に対して株価が120%を下回った場合は新規の社債発行ができず、その後5営業日連続で120%以上となった場合のみ再開できる条件となっている。2026年内に大型のライセンス契約が決まれば資金負担の大幅な軽減が期待できるが、決まらない場合には株式市場から資金調達を継続していく必要があるため、今後のライセンス交渉の動向が注目される。

なお、同社はHGF遺伝子治療用製品が上市した場合の市場価値に対して現状の企業価値（時価総額で200億円程度）が低すぎると考えており、今後買収リスクが上昇することを想定し買収防衛策（新株予約権の無償割当）を2026年2月に導入した。

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	22/12期	23/12期	24/12期	25/12期	増減
流動資産	12,896	5,921	3,542	4,386	843
（現金及び預金）	11,035	4,160	1,707	1,882	174
固定資産	25,924	22,971	1,125	1,019	-106
（のれん）	23,254	21,746	-	-	-
資産合計	38,820	28,892	4,668	5,405	737
負債合計	8,395	2,789	2,512	2,329	-182
（前受金）	5,764	637	639	641	1
純資産合計	30,425	26,103	2,156	3,076	919
< 経営指標 >					
自己資本比率	78.1%	90.0%	44.0%	55.2%	11.2pp

出所：決算短信よりフィスコ作成

業績動向

第46回新株予約権 調達資金の具体的使途

使途	金額	支出予定時期
HGF遺伝子治療薬のグローバルでの製品価値最大化のための研究開発費用	3,087百万円※	2025年12月～2027年11月
ACRLの検査受託事業拡大費用	590百万円	2025年12月～2027年11月
Emendoの研究開発拠点移転費用	1,000百万円	2025年12月～2027年11月
その他研究開発を含む運転資金	2,093百万円	2025年12月～2027年11月

※ 計画的な資金調達を可能にするため、私募債の発行で27億円程度を調達し、私募債の償還資金を新株予約権の行使で賄うスキームに変更

出所：IRニュースよりフィスコ作成

■ 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、BLA申請に向けて準備を進めることを決定したのを機に企業理念を見直し、「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・開発に注力し、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、「HGF遺伝子治療用製品の製品価値最大化」「パイプラインの継続的拡大」「欧米を中心としたグローバル展開の推進」「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。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、EmendoBio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の達成に近づくものと思われる。

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・表示したものです。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、理由のいかなを問わず、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