

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9月16日 (水)

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状況	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	08
3. ARDS治療薬 (Tie2受容体アゴニスト化合物)	10
■ EmendoBioの開発状況	11
1. ゲノム編集技術とOMNIプラットフォームの特徴	11
2. 事業戦略	12
■ ACRLの取り組み状況	13
■ 業績動向	13
1. 2026年12月期中間期の業績概要	13
2. 2026年12月期の業績見通し	14
3. 財務状況と資金調達計画	15
■ 今後の成長戦略	17

■ 要約

HGF遺伝子治療用製品は 2027年12月期第1四半期の承認申請と契約締結へ

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。遺伝子医薬のグローバルリーダーになることをビジョンに掲げており、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目指している。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状況

米国で上市を目指すHGF遺伝子治療用製品は、後期第2相臨床試験で良好な結果が示されたことを受け、生物製剤認可申請（BLA申請）に向けた準備を進めている。今後は完成した申請データから順次、米国食品医薬品局（以下、FDA）に提出し、2027年12月期第1四半期までにすべてのデータ提出を完了する計画で、同四半期中に正式なBLA申請として受理される見込みである。審査期間は6ヶ月のため、順調に進めば2027年内に販売承認を取得し、販売を開始できる可能性がある。また、大手製薬企業との販売ライセンス契約についても候補を4社程度に絞り込んで交渉を進めており、2026年12月頃にLOI（基本合意書）を締結し、2027年12月期第1四半期の本契約締結を目指す。同社は調査会社から米国のHGF遺伝子治療用製品の対象患者数は年間最大で約50万人との報告を受けているが、実際の対象患者数は20～30万人と見積もっており、このうち20%に投与されたと仮定すると売上ポテンシャルは2千億円を超える規模になると弊社では試算している。

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、2026年内に被験者登録を完了し、2027年末頃のトップラインデータ発表を目指している。

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相臨床試験の被験者登録は2026年12月期第3四半期に完了する予定で、年内にも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試験を開始したほか、重度熱傷患者の蘇生治療に関する臨床試験開始に向けた検討を進めている。

要約

3. 業績動向

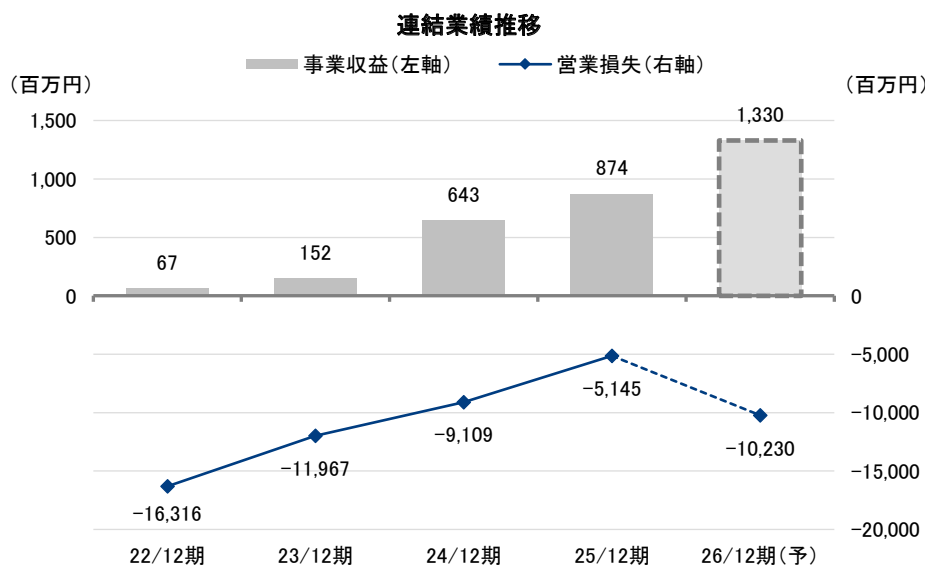
2026年12月期中間期の業績は事業収益で502百万円（前年同期比87百万円増）、営業損失で3,236百万円（同835百万円増）となった。事業収益は早老症治療薬「ゾキンヴィ」の販売増により増収となった。費用面では、販管費が同199百万円減少したものの、HGF遺伝子治療用製品関連を中心に研究開発費が同1,112百万円増加し、営業損失の拡大要因となった。

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）と期初予想を据え置いた。「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遺伝子治療用製品関連の研究開発費増加が損失拡大要因となる。2026年内にHGF遺伝子治療用製品に関するライセンス契約が締結された場合は、相応の上方修正が期待できることになる。

2026年12月期中間期末の現金及び預金残高は281百万円と大きく減少したが、同年8月にグロースパートナーズ(株)が運営するファンドを割当先とする第2回無担保転換社債型新株予約権付社債20億円と第47回及び第48回新株予約権を発行し、当面の事業活動資金を確保していくことになる。新株予約権が当初行使価額ですべて行使された場合、約65億円の調達が可能となるが、その後もさらなる資金調達を検討しているほか、ACRLの検査事業についても他社との提携・組織再編等による資金調達を計画している。HGF遺伝子治療用製品のライセンス契約が締結されれば株式市場の評価も変わるものと弊社では見ており、その動向が注目される。

Key Points

- ・ 2027年12月期第1四半期にHGF遺伝子治療用製品のライセンス契約締結目指す
- ・ ARDS治療薬「AV-001」の臨床試験結果は2026年内に発表見込み
- ・ 検査事業は提携・組織再編等で資金調達し、事業拡大を目指す
- ・ 当面の事業活動資金はエクイティファイナンス等で賄う方針



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(株)(現 田辺ファーマ(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が、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。一方で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、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。

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、重度の成長障害、脱毛、前額突出、小顎等の早老様顔貌並びに皮膚の萎縮、硬化及び関節拘縮を呈する。加齢とともに虚血性心血管疾患が顕在化し、これがHGPS患者の主な死因となっており、平均寿命は14.5歳と報告されている。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、同様または類似の症状が生じ老化を促進する。世界におけるHGPSの患者数は150人から250人程度で、PDPLの患者数は現時点では不明である。HGPSは日本では指定難病とされ、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の開発を行う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、同社が引き継いで受託している。

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。

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市場規模は米国だけで2千億円超と試算

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-κB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

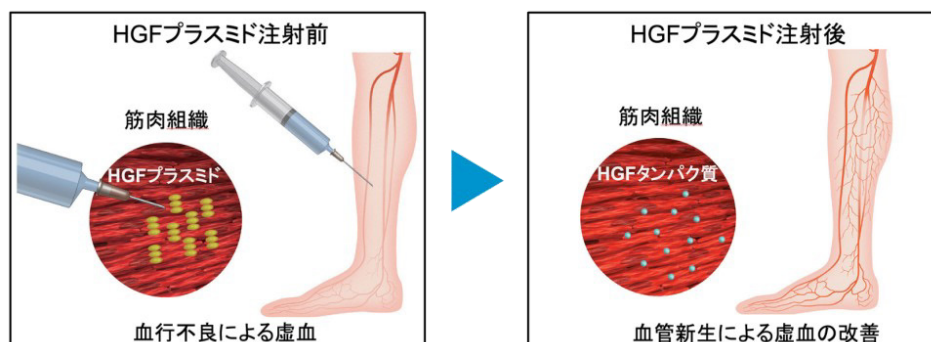
プロジェクト	地域	導出先・提携先	適応症	開発ステージ
HGF 遺伝子治療用 製品	日本	-	慢性動脈閉塞症	2024年6月に条件・期限付き製造販売の条件解除に向けた本申請を取り下げ。米国で販売承認後にPMDAと協議再開へ
	米国	-	包括的 高度慢性下肢虚血	2023年3月に後期第2相臨床試験（症例数75例）を完了、2024年9月にFDAによりブレイクスルー・セラピー指定、2024年11月に治験担当医師が学会でトップラインデータ発表。BLA申請に向け準備中
	イスラエル	Kamada Ltd.	慢性動脈閉塞症	国内の本承認申請取り下げに伴い、Kamadaも製造販売承認申請を取り下げ
	トルコ	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）
	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）
DNAワクチン	オーストラリア	-	高血圧	オーストラリアで第1/2a相臨床試験完了（24例、2018年～2021年）。技術的課題の改善策を検討中
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）。2024年5月にFDAによりファスト・トラック指定

出所：決算短信、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によって組織が潰瘍・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。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。

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

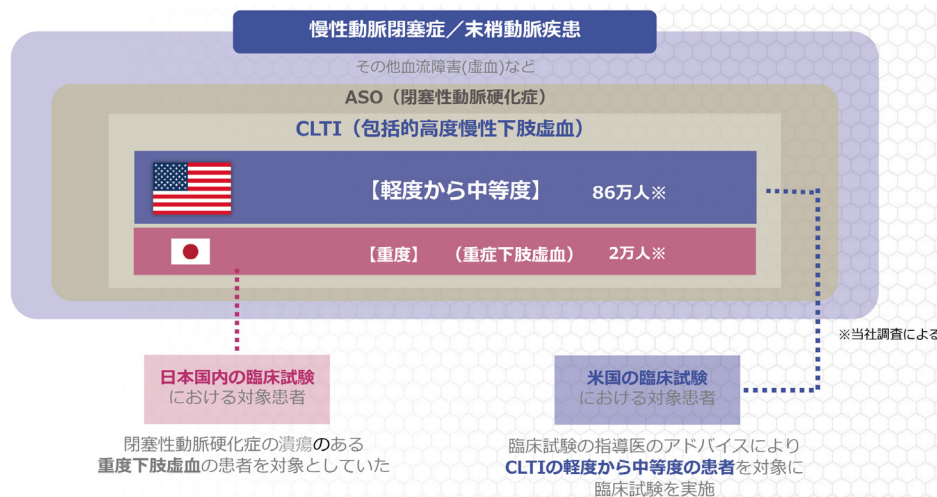
アンジェス | 2026年9月16日 (水)
4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

主要開発パイプラインの動向

米国において、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の患者を対象に後期第2相臨床試験を実施した。重症下肢虚血の患者はがんと同様に早期の治療開始が重要であるという治験担当医師の仮説に基づき、試験をデザインした。

※ 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。同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：決算説明資料より掲載

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)。治験結果をまとめた治験担当医師の論文が、2025年11月に米国心臓学会 (AHA) が発行する学術誌「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群で84日であ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群が63.3%であ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群が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) が確認された。以上から、HGF遺伝子治療用製品は中等度のCLTI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對して、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。

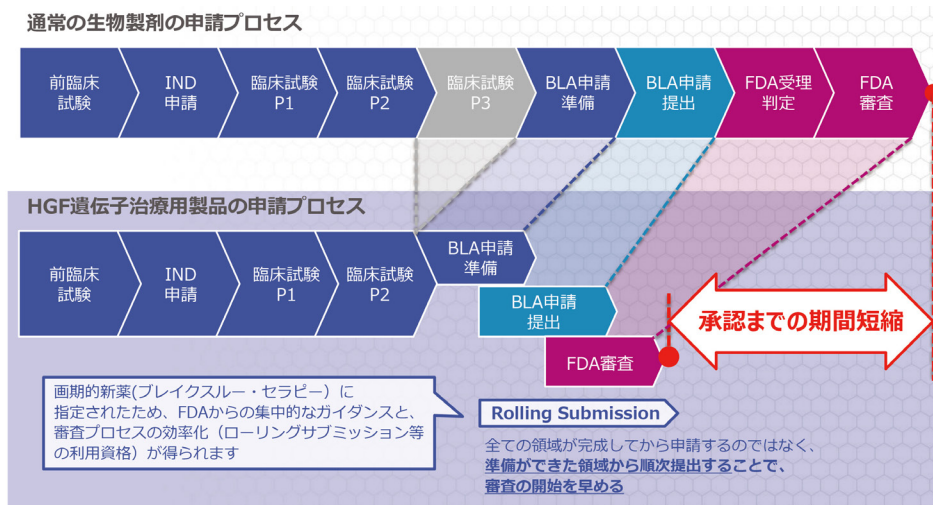
アンジェス | 2026年9月16日 (水)
4563 東証グロース市場 | <https://www.anges.co.jp/ir/>

主要開発パイプラインの動向

同試験結果に基づき、FDAより画期的新薬（ブレイクスルー・セラピー）に指定※を受け、さらにFDAと協議したうえで、臨床試験を完了とし、BLA申請により上市を目指すことを2025年8月に決定した。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Boehringer Ingelheim Biopharmaceuticals GmbH（以下、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、小規模設備で原薬を製造・供給してきたが、上市するとなれば大型培養設備を構築する必要があるため、製造体制を構築するまでに一定の期間と投資資金を要することになる。ペーリンガーでは、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）体制の構築を進めている。同指定により、BLA申請書類（非臨床、臨床、CMC）は準備ができた領域から順次提出できるため、審査開始の前倒しが可能となる。同社は2026年12月期第3四半期に最初の申請書類をFDAに提出し、ペ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12月期第1四半期に提出する予定だ。最終申請書類を提出後、6ヶ月で承認の可否が明らかとなり、順調に進めば2027年内にも販売を開始できる可能性が出てくる。

※ 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



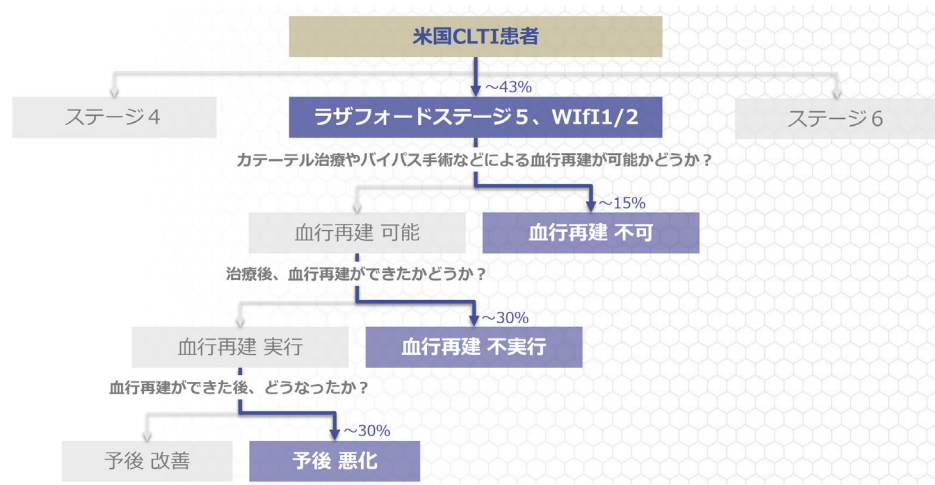
出所：決算説明資料より掲載

販売開始にあたって重要となるのは、販売ネットワークを持つ大手製薬企業との販売ライセンス交渉である。まず秘密保持契約（NDA）を締結したうえで担当者レベルでのデータ提供から着手し、2026年9月以降に経営トップ同士の協議を行い、同年12月頃にLOIを締結して2027年12月期第1四半期の本契約締結を目指している。疾患が重なり、シナジーが期待できる糖尿病治療薬や循環器領域で強みを持つグローバル企業を中心に検討を行い、米国専門医の協力も得ながら契約締結を目指す。契約を締結した場合は、契約一時金や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等を得られることになる。同社としては、財務状況を勘案し、可能な限り早期に資金を得られる形で交渉を進めたい考えた。なお、契約内容に関しては欧州市場を含むグローバル展開を視野に、パートナー交渉を進める可能性もある。日本では米国で販売承認を得られた後に、PMDAと協議を進める予定にしている。

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2千億円を超える規模になると弊社では試算しており、契約一時金も相当額になることが期待される。米国での対象患者数は調査会社の調べで年間最大50万人程度と試算されている。CLTI (包括的高度慢性下肢虚血) 患者約200万人のうち、HGF遺伝子治療用製品の対象となる軽度から中等度の患者(ラザフォードステージ5、WIFI1/2)の比率が最大43%、患者数で約86万人となるが、このうち、血管バイパス手術など血行再建術が何らかの理由でできない患者と、血行再建術を拒否した患者、血行再建術を実施後に予後が悪化した患者が対象となり、あわせると最大約50万人となる。これに対して、同社は実際の対象患者数として20~30万人と見積もり、このうち20%の患者(4~6万人)がHGF遺伝子治療用製品を利用することを想定している。薬価は血行再建術の施術費用75千米ドルが目安となるが、患者負担も考えると40~45千米ドル程度が妥当と見られ、想定患者数と掛け合わせると16~27億米ドル、円換算で2千億円以上となる可能性がある。

米国におけるHGF遺伝子治療用製品の対象患者



出所：決算説明資料より掲載

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- 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- 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。

主要開発パイプラインの動向

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。2026年内に登録が完了する見込みだ。当初の想定よりも時間を要しているが、これは同製品の効果を適切に評価すべく、対象患者の選定を慎重に行っているためである。順調に進めば、2027年末頃に臨床試験結果が発表される見通しである。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。

※ 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。

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、3mg、10mg）で用量依存的な鎮痛効果が示され、最大投与量である10mg投与群では投与後早期に腰痛が大幅に軽減し、1年後には投与前と比較して痛みのスコアが平均77%軽減した（プラセボ群では平均40%）。また、同投与群に関しては試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。詳細に見ると、同投与群のうち半数の患者は痛みがほぼ完全に消失しており、椎間板の高さもプラセボ群で減少したのに対し、10mg投与群では増加が認められ、椎間板の回復を示唆する結果も得られたとしている。米国の試験で用量依存的な鎮痛効果が確認されており、日本の臨床試験では米国の最大投与量である10mg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- κ B 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治療薬「AV-001」の臨床試験結果は2026年内に発表見込み

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が収束したこともあり、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)、臨床試験を進めている。

※ 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。

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12月期第三四半期にすべての登録が完了する見込みだ。トップラインデータは2026年内にも発表できる見通しで、良好な結果が得られればライセンスアウトする意向だ。「AV-001」は2024年5月にFDAからファスト・トラック※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3月に最初の被験者への投与が開始された。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、認知機能の低下を抑制し、脳白質機能を維持できるかを評価する試験である。予定症例数は60例で2027年内の登録完了が見込まれている。末期腎不全患者の最大90%が血液透析を利用しているが、特に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。

今回の医師主導試験の開始に伴い、同社はVasomuneと「AV-001」の共同開発契約の対象範囲をすべての適応疾患とする契約を、2025年11月に締結した。同契約に基づき、2026年から2027年にかけて3百万米ドルを支払うことになるが、導出が決定した場合や上市に成功した場合には、同社もその対価の一部を得られることになる。

さらに、戦闘などで傷害を受けた重度熱傷患者の蘇生治療に向けた開発についても検討を進めている。「AV-001」の投与により、血管内皮細胞表面に高発現する膜貫通型タンパク質 Tie2 受容体を活性化し、血管漏出の抑制と血管内皮バリア機能の維持を図り、蘇生治療に役立てることを目指す。米国防省からの助成金を活用して開発を進める意向で、現在プロトコルの見直し作業を進めており、準備が整い次第、第2相臨床試験を開始する。

EmendoBioの開発状況

OMNIプラットフォームは ゲノム編集技術の中でも安全性の高さに強み

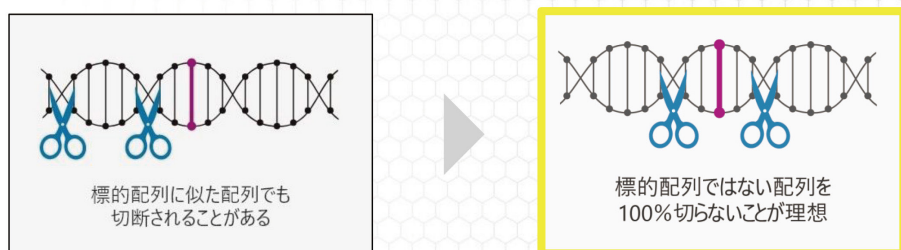
1. ゲノム編集技術とOMNIプラットフォームの特徴

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年に従来法とは異なる機序で簡単に標的とするDNA配列を切断可能な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、2023年には英国と米国で同技術を用いた治療薬が初めて承認されている※。

※ 米国Vertex Pharmaceuticals Inc.<VRTX>とスイスのCRISPR Therapeutics<CRSP>が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。症状が悪化した場合、腎不全や心不全を引き起こすケースもある。

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、オフターゲットを最小限にとどめつつ高効率なゲノム編集を行うヌクレアーゼを探索・最適化する仕組みで、従来にない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、成長ポテンシャルは大きい。

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

出所：決算説明資料より掲載

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エンジニア合計で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。

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種である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 AB^{※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。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。2026年内にOMNI-A4を用いた開発パイプラインの臨床試験開始が見込まれており、Anoccaからマイルストーン収入が得られる見通しだ。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100百万米ドルであったが、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。

^{※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を発見する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。

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社がOMNIプラットフォームの技術評価試験を進めており、高い評価が得られれば2026年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130万米ドルを予定）。共同研究終了時に研究成果を論文として発表する予定だ。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多く在籍しており、将来的にはこれらの人材を採用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

検査事業は提携・組織再編等で資金調達し、事業拡大を目指す

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、検査件数が順調に増加し、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。また、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しており、1件当たりの単価も上昇した。ただ、検査機器や人的・資金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月期は微増にとどまる見通しである。

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、同社がワンストップで検査サービスを受託できる意義は大きい。確定検査やバイオマーカー検査の件数そのものは大幅に少ないため、業績への直接的な影響は軽微だが、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というメリットがある。

同社は今後も受託先の拡大や検査対象疾患の拡大に取り組み、検査事業の拡大を目指しているが、現状はHGF遺伝子治療用製品の上市を経営の最優先課題と位置付け、これに資金を集中投下する計画のため、能力増強投資などを先送りせざるを得ない状況が続いている。こうした状況を打破するため、他社との提携・組織再編等によって資金調達を行い、事業を拡大する方針を明らかにしており、現在候補先企業との協議を進めている。

■ 業績動向

2026年12月期中間期は研究開発費増加で営業損失が拡大

1. 2026年12月期中間期の業績概要

2026年12月期中間期の業績は事業収益で502百万円（前年同期比87百万円増）、営業損失で3,236百万円（同835百万円増）、経常損失で2,560百万円（同1,338百万円減）、親会社株主に帰属する中間純損失で2,714百万円（同1,251百万円減）となった。

業績動向

2026年12月期中間期の連結業績

(単位：百万円)

	25/12期 中間期	26/12期 中間期	前年同期比		主な変動要因
			増減額	増減率	
事業収益	414	502	87	21.2%	ゾキンヴィ (+89)、ACRL手数料収入 (-1)
事業費用	2,815	3,738	923	32.8%	
売上原価	254	265	10	4.0%	ゾキンヴィ (+26)、ACRL (-16)
研究開発費	1,555	2,668	1,112	71.5%	外注費 (+643)、支払手数料 (+374)
販管費	1,004	805	-199	-19.8%	支払手数料 (-198)
営業利益	-2,400	-3,236	-835	-	
経常利益	-3,898	-2,560	1,338	-	為替差損益 (+2,173)
親会社株主に帰属する 中間純利益	-3,966	-2,714	1,251	-	

出所：決算短信、決算説明資料よりフィスコ作成

事業収益のうち、商品売上高は早老症治療薬「ゾキンヴィ」の投与患者数が増加したことにより前年同期比89百万円増加の232百万円となった。一方、検査受託サービスにおける手数料収入は受託件数が伸び悩んだことで同1百万円減少の270百万円にとどまった。

事業費用は同923百万円増加の3,738百万円となった。販管費は弁護士等専門家及びコンサルタントへの報酬減に伴う支払手数料の減少等により同199百万円減少したものの、研究開発費が同1,112百万円増加した。HGF遺伝子治療用製品の製造試験に関わる費用の増加により外注費が643百万円増加したほか、FDAへの申請に関わる業務委託料の増加等により支払手数料が374百万円増加した。

HGF遺伝子治療用製品関連の研究開発費増加が営業損失の拡大要因となったが、主にEmendoBioへの米ドル建て貸付金(約1億米ドル)の中間期末の評価替え※を行った結果、営業外で為替差益682百万円が発生し(前年同期は1,491百万円の為替差損を計上)、経常損失の縮小要因となった。

※ 2025年12月末の為替レート156円/米ドルに対して2026年6月末は162円/米ドルで評価。

2026年12月期の営業損失額は期初予想から縮小する可能性も

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)と期初予想を据え置いた。

業績動向

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 予想	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拡大するほか、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前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。ただし、資金面で厳しい状況にあることから、HGF遺伝子治療用製品に関する費用以外は極力抑制する方針としており、営業損失額は予想を下回る可能性もある。また、HGF遺伝子治療用製品のライセンス契約一時金は予想に織り込んでいないため、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。

当面の事業活動資金はエクイティファイナンス等で賄う方針

3. 財務状況と資金調達計画

(1) 財務状況

2026年12月期中間期末の財務状況は、資産合計が前期末比1,745百万円減少の3,660百万円となった。流動資産では、事業費用の支払いにより現金及び預金が1,600百万円減少の281百万円となったほか、未収消費税等が104百万円減少した。固定資産では、有形固定資産が17百万円減少し、投資その他の資産が39百万円増加した。

負債合計は前期末比1,124百万円増加の3,454百万円となった。未払法人税等が283百万円減少した一方で、HGF遺伝子治療用製品の製造試験に関わる費用の増加等により買掛金が413百万円増加したほか、米国FDAへの申請に関わる業務委託料の増加により、未払金が315百万円増加した。また、社債の発行により有利子負債が621百万円となった。純資産合計は同2,870百万円減少の205百万円となった。新株予約権の行使により、資本金及び資本剰余金が各270百万円増加した一方で、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2,714百万円減少したほか、為替換算調整勘定が684百万円減少した。

業績動向

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	24/12期末	25/12期末	26/12期 中間期	増減
流動資産	3,542	4,386	2,619	-1,766
(現金及び預金)	1,707	1,882	281	-1,600
固定資産	1,125	1,019	1,040	21
資産合計	4,668	5,405	3,660	-1,745
負債合計	2,512	2,329	3,454	1,124
(有利子負債)	-	-	621	621
純資産合計	2,156	3,076	205	-2,870
<経営指標>				
自己資本比率	44.0%	55.2%	3.5%	-51.7pp
有利子負債比率	-	-	490.0%	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

(2) 資金調達計画

同社は当面の事業活動資金を手当てするため、2026年8月14日付で、グロースパートナーズが運営するGP上場企業出資投資事業有限責任組合を割当予定先とする第2回無担保転換社債型新株予約権付社債及び第47回新株予約権（行使価額修正条項付）、第48回新株予約権の発行、並びにグロースパートナーズとの事業提携契約の締結を発表した。いずれも8月31日払込みが完了し、新株予約権付社債で20億円を調達し（利率0.75%、転換価額は43.5円で固定）、9月以降は新株予約権の行使で随時資金を調達する計画である。第47回新株予約権は当初行使価額50円（下限行使価額25円）、第48回新株予約権は行使価額が43.5円で固定されている。潜在株式数は合計で182,976千株となり、希薄化率は45.88%※となる。

※ 2026年6月末の発行済株式数398,835千株を分母とする。

新株予約権について当初行使価額ですべて行使された場合、新株予約権付社債20億円と合わせた払込金額の総額は8,500百万円、発行諸費用を差し引いた手取概算額は8,196百万円となる。同計画の発表以降、株価は39円（2026年8月24日終値）まで下落しており、資金調達が想定どおり進まない可能性もある。ただ、同社は第48回新株予約権行使後も、新たな資金調達を行うことで、事業活動資金を賄う方針である。弊社では、HGF遺伝子治療用製品のライセンス契約交渉がまとまれば株価上昇の契機となり、現在の厳しい状況から脱するものと考えている。2026年内に同契約の前段階となるLOI等の契約締結が発表されるかどうか、注目される。

なお、グロースパートナーズとの事業提携は、グロースパートナーズが有するネットワーク及び知見を活用し、事業提携、資本政策及び事業開発等の面で協力を得ることで、事業基盤の強化及び企業価値の向上をねらいとしている。

調達資金の具体的使途

使途	金額(百万円)	支出予定時期
第2回無担保社債(私募債)の償還	630	2026年8月～2026年9月
HGF遺伝子治療用製品の米国での開発費用	3,500	2026年8月～2031年10月
EmendoBioの研究開発拠点移転費用	1,000	2026年8月～2031年10月
その他研究開発を含む運転資金	3,066	2026年8月～2031年10月
合計	8,196	

注：第2回無担保社債(私募債)は2026年2月に発行したもので、2026年9月1日に償還した
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創出できれば、「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が近づくものと思われる。

重要事項 (ディスクレーマー)

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