COMPANY RESEARCH AND ANALYSIS REPORT

企業調査レポート

アンジェス

4563 東証マザーズ

企業情報はこちら >>>

2020 年 9 月 4 日（金）

執筆：客員アナリスト
佐藤 譲
FISCO Ltd. Analyst **Yuzuru Sato**

FISCO
FISCO Ltd.
http://www.fisco.co.jp

目次

■要約 01
1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況について 01
2. その他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 04
■新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況について 05
■主要開発パイプラインの動向 08
1. HGF 遺伝子治療用製品 09
2. NF- κ B デコイオリゴ 11
3. 高血圧 DNA ワクチン 12
4. 急性呼吸窮迫症候群治療候補薬 13
■業績動向 14
1. 2020 年 12 月期第 2 四半期累計の業績概要 14
2. 2020 年 12 月期の業績見通し 15
3. 財務状況について 15
■今後の成長戦略 16
1.「コラテジェン」の事業価値最大化 17
2. ポスト「コラテジェン」の育成 17
3. 新規事業領域への展開 18

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.

要約

新型コロナウイルス感染症ワクチンは 2021 年春の実用化を目指して開発が進行中

アンジェス <4563> は、1999 年に設立された大阪大学発の創薬ベンチャー。遺伝子医薬に特化した開発を進めており、将来的に「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目標にしている。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益、上市後の製品売上高にかかるロイヤリティ収入を獲得するビジネスモデルとなる。

1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況について

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対する DNA ワクチンの開発状況について、同社は 8 月 21 日に大阪市立大学医学部附属病院での第 1/2 相臨床試験で低用量（15 例）及び高用量（15 例）の接種が完了したことを発表した。また、投与間隔及び投与回数を確認するための第 1/2 相臨床試験を、大阪大学医学部附属病院で 9 月上旬より開始するとしている。2 施設での臨床試験の安全性及び有効性についての初期的な試験結果を 2020 年第 4 四半期に発表する予定であることを明らかにした。既に、経過観察中の非臨床試験においては安全性に問題なく、抗体産生の有無並びに中和抗体活性についても米国のワクチン開発企業とそん色のないデータが得られていることを確認している。今後のスケジュールは PMDA（独立行政法人 医薬品医療機器総合機構）と協議して決めていくことになるが、第 2/3 相臨床試験を早期に数百人規模で開始し、2021 年春の実用化を目指している。ワクチンの製造はタカラバイオ <4974> が担当するほか、AGC Biologics、Cytiva、シオノギファーマ（株）、Kaneka Eurogentec が製造体制に参画することを発表しており、2021 年春頃には 100 万人分の生産体制になることが見込まれる。なお、同プロジェクトは国立研究法人日本医療研究開発機構（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」に採択され、研究開発費 20 億円（研究開発期間：2020 年 5 月～ 2021 年 3 月）の支援を受け開発を進めていくほか、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、大規模生産体制の構築を図っていくことになっている。

2. その他開発パイプラインの動向

HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」は、国内で慢性動脈閉塞症患者向けに「潰瘍の改善」を効能として条件及び期限付き販売承認を得て 2019 年 9 月より販売を開始しており、市販後調査の結果を見て本承認の取得を目指している※。また、慢性動脈閉塞症の「安静時疼痛の改善」を確認する第 3 相臨床試験（予定症例数 40 例）を同年 10 月より開始しているほか、米国でも 2020 年 2 月より下肢切断リスクの低い慢性動脈閉塞症患者を対象に、「潰瘍の改善」と「血流の改善」を主要評価項目とする第 2b 相臨床試験（予定症例数約 60 例）を開始している。そのほか、米国で実施している椎間板性腰痛症を適応症とした NF- κ B デコイオリゴの第 1b 相臨床試験や、オーストラリアで実施している高血圧 DNA ワクチンの第 1/2a 相臨床試験はそれぞれ患者への投与が完了し、いずれも 2020 年第 4 四半期頃に観察期間に基づく安全性と有効性に関する臨床試験結果をトップラインデータとして発表する予定で、結果次第でライセンス交渉を検討するとしている。

※「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」を効能として、厚生労働省から条件及び期限付製造販売承認を 2019 年 3 月に取得し、同年 9 月より提携先である田辺三菱製薬（株）を通じて販売を開始した。

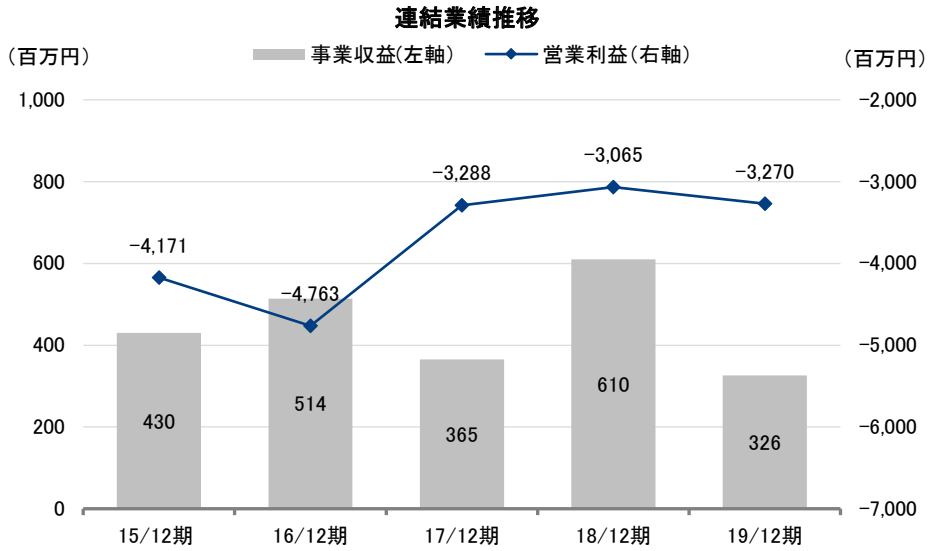
本資料のご利用については、必ず巻末の重要事項（ディスクレーマー）をお読みください。
Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

3. 業績動向

2020 年 12 月期第 2 四半期累計（2020 年 1 月～ 6 月）の売上高は前年同期比 90.2% 減の 16 百万円、営業損失は 1,766 百万円（前年同期は 1,709 百万円の損失）となった。前年同期に売上計上していたムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム ®」の販売が 2019 年 12 月期の第 2 四半期で終了したことで 170 百万円の減収要因となっている。「コラテジェン ®」については 16 百万円の売上を計上している。費用面では、研究開発費が前年同期比で 25 百万円減少し、販管費は前年同期比で横ばい水準であった。通期業績見通しについては、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こともあり、現時点で合理的な数値の算出が困難なことから非開示としている。なお、2020 年 12 月期第 2 四半期末の現金及び預金は約 135 億円となっており、当面の事業活動を進めていく上での資金は確保されているものと判断される。

Key Points

- 2020 年 12 月期は新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発及び 2021 年春の実用化を最重要課題として取り組んでいく方針
- 遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指し、アライアンス戦略による新規事業への展開も視野に入れる



出所：決算短信よりフィスコ作成

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.

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たほか、米国にて 2020 年 2 月より第 2b 相臨床試験を開始している。

もう 1 つの主力開発品である核酸医薬品の NF- κ B デコイオリゴは、自社開発として椎間板性腰痛症を対象とした第 1b 相臨床試験を 2018 年 2 月より米国で開始したほか、高血圧症を対象とした DNA ワクチンの第 1/2a 相臨床試験を 2018 年 4 月よりオーストラリアで開始している。また、直近では 2020 年 3 月に新型コロナウイルス感染症の予防ワクチンについて、大阪大学と共同開発することを発表、第 1/2 相臨床試験が国内で進められている。

また、アライアンス戦略については、2018 年 7 月にカナダの Vasomune Therapeutics Inc.（以下、Vasomune）と急性呼吸窮迫症候群（ARDS）の治療薬開発に関する共同開発契約を締結したほか、マイクロバイオーム事業の可能性を探索するためにイスラエルの MyBiotics Pharma Ltd.（以下、MyBiotics）に出資している。また、2019 年 3 月には先進のゲノム編集技術を開発する米国の Emendo Biotherapeutics（以下、Emendo）にも出資し、遺伝子疾患を対象としたゲノム編集技術の共同開発を進めていく方針となっている。なお Emendo については 2020 年に入って追加出資を行い、出資比率が 2020 年 6 月時点で約 32%（完全希薄化後）となったことから、2020 年 12 月期より持分法適用関連会社としている。

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.

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- κ B デコイオリゴのアトピー性皮膚炎分野において、塩野義製薬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 と戦略的事業提携契約を締結
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- κ B デコイオリゴの第 1b 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 1/2a 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 Emendo Biotherapeutics 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 Diagnostic 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第 2b 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

出所：有価証券報告書、会社資料よりフィスコ作成

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、その研究開発に特化していることにある。開発の対象疾患は、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」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主軸は、研究開発に特化し（原薬の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。

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.

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

新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況について

新型コロナウイルス感染症ワクチンは 2021 年春の実用化を目指し開発を進める

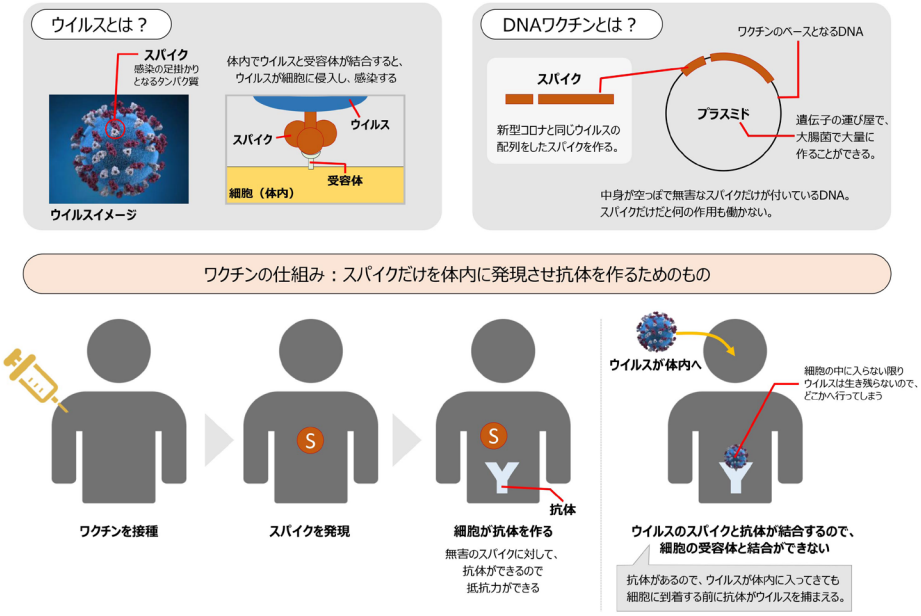
新型コロナウイルスの感染者数は 2020 年 8 月上旬までに、世界で 2 千万人を超える広がりを見せており、また、一時沈静化していた国内においても 7 月以降、感染者数が再拡大し、8 月に入ってからは 1 日 1 千人を超えるペースとなってきており、早期の治療薬並びに予防用ワクチンの実用化が切望される状況となっている。

こうしたなか、同社は 2020 年 3 月に大阪大学と共同でプラスミド DNA ※1 製法を用いた予防用ワクチンの共同開発を行うことを発表し、同年 6 月より大阪市立大学医学部附属病院にて、臨床第 1/2 相試験を開始し、既に低用量群（15 例）と高用量群（15 例）の接種が完了した。また、投与間隔及び投与回数を確認するための第 1/2 相臨床試験を、大阪大学医学部附属病院で 9 月上旬より開始するとしている。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になる。

※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 からは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 遺伝子治療薬「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。

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.

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

現在、経過観察を行っている動物を用いた非臨床試験において安全性に関する問題は発生しておらず、また、ワクチンの有効性評価基準となる抗体産生の有無や中和抗体活性についても、米国のワクチン開発企業が発表している初期臨床データとそん色のないデータが得られていることから、弊社では今後も開発は順調に進む可能性が高いと見ている。同社では、2 施設での臨床試験の安全性及び有効性についての初期的な試験結果を 2020 年第 4 四半期に発表する予定にしており、問題が無ければ PMDA との協議のうえで、早期に数百名規模での第 2/3 相試験を開始し、2021 年春の実用化を目指すという従来からの方針に変わりない。通常、販売承認申請の審査期間は 1 年強かかるが、緊急性を要する場合は特例で早期承認されるケースもある。

ワクチン開発プロジェクトの発表以降、同プロジェクトに参画する企業が相次いでいるが、2020 年 5 月以降は大量生産体制の構築に向けた参画企業も出てきている。ワクチンの製造に関してはタカラバイオが担当しているが、中間体の製造に関して、AGC Biologics、Cytiva、シオノギファーマ、Kaneka Eurogentec が参画することを発表しており、こうした取り組みによって 2021 年春には 100 万人分のワクチン生産体制が整備されることになる。

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.

新型コロナウイルス向け DNA ワクチンの共同開発参画企業と内容

発表日	会社名	活用技術	内容
3月13日	ダイセル	薬剤送達デバイス	火薬を駆動力として針を用いることなく薬液を特定の細胞内に送達する新規投与デバイス「アクトランザ TM ラボ」を用いて、遺伝子発現効率を高め、DNA ワクチンの抗体産生力を増強する。
4月7日	EPS ホールディングス	-	非臨床試験・臨床試験の支援機関として参画。
4月8日	ファンペップ	アジュバントを活用したペプチド	大阪大学発ベンチャーで、「AJP001」（アジュバント様作用を示すペプチド）を用いた抗体誘導ペプチドの研究開発を行っている。「AJP001」または AJP001 とエピトープ（新型コロナウイルスの一部の抗原ペプチド）を結合した「抗体誘導ペプチド」を DNA ワクチンに併用投与する共同研究に取り組み、より有効性の高い次世代 DNA ワクチンの開発を進める。
4月14日	ペプチド研究所	抗体価測定のためのペプチド	大阪大学蛋白質研究所に端を発する会社で、同社のペプチド合成、精製及び分析技術を駆使して調製されたペプチド - ウシ血清アルブミン結合体（BSA コンジュゲート）を用いることにより、抗体価を高い精度で測定することが可能となり、非臨床試験や臨床試験の速やかな実施が期待される。
4月21日	新日本科学	-	非臨床試験の支援機関として参画、安全性等の検証を行う。
4月27日	ヒューマン・メタボローム・テクノロジーズ	メタボロミクス技術	細胞や生体内に存在する代謝物質を包括的に測定することで、生命現象を解析するメタボロミクス技術を用いて、ワクチン接種後の生体内の代謝変動を分析し、抗体価等の生体情報の変動と合わせて解析することにより、その関連性の研究を進めていくとともに、ワクチンの有効性等の評価指標となるバイオマーカーの探索を共同で進めていく。
4月30日	フューチャー	AI を用いた抗原探索システム	大阪大学及びファンペップと共同で、抗体誘導ペプチドを効率的に開発するための AI を活用した抗原探索システムの研究開発を行っている。同システムを利用することで、抗原配列等の設計を最適かつ効率的に行い、より効果の高い次世代ワクチンの開発のスピードアップを図る。
5月18日	スリー・ディー・マトリックス	抗体検査キット	ワクチン臨床試験における投与前抗体有無の確認を目的とした抗体検査キットの国内での臨床利用可能性を検討。
5月21日	AGC Biologics, Cytiva	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。AGC Biologics は中間体を分担製造、Cytiva は精製用資材を供給。
6月18日	シオノギファーマ	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。中間体を分担製造。
8月4日	Kaneka Eurogentec	-	ワクチンの製造体制強化を目的として、製造を担当するタカラバイオの協力体制に参画。中間体を分担製造。

出所：会社発表資料よりフィスコ作成

こうしたワクチンの開発や量産体制構築に向けた費用については、国の助成金等で賄われることになる。日本医療研究開発機構（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」に、2020 年 5 月に採択されており、研究開発費 20 億円（直接経費、研究開発期間：2020 年 5 月～ 2021 年 3 月）の支援を受けることが決定しているほか、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、大規模生産体制の構築を図っていくことになっている。なお、これら助成金等について、会計上どのように処理していくかについてはまだ確定していない。

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.

■主要開発パイプラインの動向

新型コロナウイルス感染症の影響で
一部の臨床試験でやや遅れが生じているものの、大勢には影響無し

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 治療用ワクチン等がある。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 相臨床試験中（2019 年 10 月～、予定症例数：約 40 例、予定試験期間：約 2 年間）
	米国	田辺三菱製薬	慢性動脈閉塞症（潰瘍、血流の改善）	第 2b 相臨床試験中（2020 年 2 月～、予定症例数：60 例、予定試験期間：約 4 年間）
	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
NF- κ B デコイオリゴ	海外	-	腰痛症	米国で第 1 b 相臨床試験中（2018 年 2 月～、予定症例数 25 例の投与を 2020 年 2 月に完了）
DNA ワクチン（治療用）	海外	-	高血圧	オーストラリアで第 1/2a 相臨床試験中（2018 年 4 月～、予定症例数 24 例の投与を 2020 年 3 月に完了）
DNA ワクチン（予防用）	日本	-	新型コロナウイルス感染症	第 1/2 相臨床試験中（2020 年 6 月～、予定症例数 30 例）
Tie2 受容体アゴニスト化合物	海外	-	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 非臨床段階の開発を進行中

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

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米国での第 2b 相試験は 2023 年の治験完了、2024 年の結果発表を目指す

1. HGF 遺伝子治療用製品

HGF 遺伝子治療用製品は、血管新生作用の効果を活用して閉塞性動脈硬化症の中でも、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・壊疽を起こすことによっ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ている。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）、また、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。

また、今回は条件及び期限付承認となっているため、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 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。同社では確実に本承認を得るために質の高い患者の登録活動を進めており、2020 年 6 月までの進捗状況としては 50 例弱と順調に進んでいる。実施医療施設については徐々に増やしながらスピードアップを図り、目標としては 3 年程度で終了し、5 年目での本承認を目指している。年換算だと 40 例ペースとなり、平均 2.5 回投与したとすると薬価ベースで年間 60 百万円の売上となる。症例データの収集・解析や治療後のフォローアップなどを含めて、製造販売後承認条件評価にかかるコストは合計で 6 億円超の規模になると予想される。

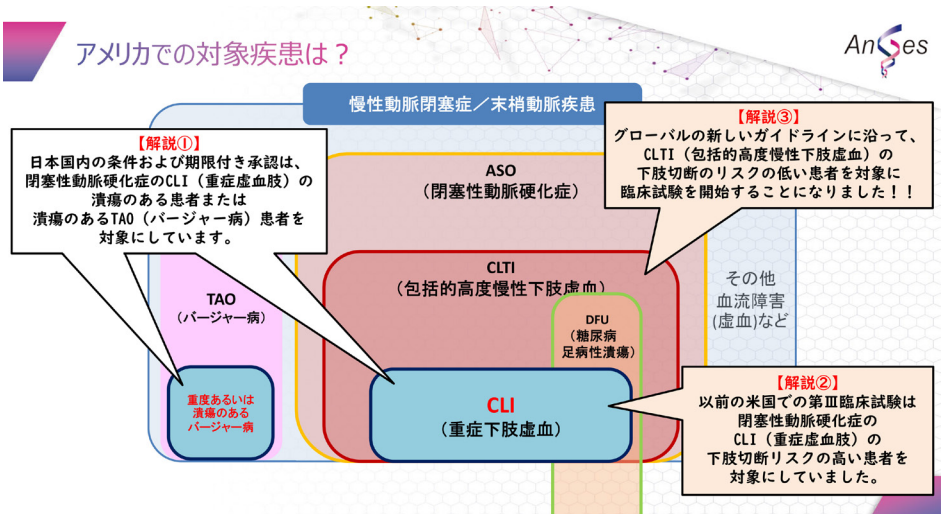
加えて、同社は「コラテジェン ®」の対象領域を広げるため、慢性動脈閉塞症での「安静時疼痛の改善」を目的とした第 3 相臨床試験も 2019 年 10 月より開始している。予定症例数は約 40 例（うち、プラセボ群 18 例）で試験費用として 6 億円程度を見込んでいる。新型コロナウイルス感染症の影響で医療施設の体制が整わず、当初の予定よりは進捗が若干遅れているものの、こちらも 2 ～ 3 年程度の期間で臨床試験を終了させ、承認申請を目指すことになる。

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.

一方、米国でも 2020 年 2 月より第 2b 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※が公表されており、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。国内の臨床試験では症状の重い患者が対象であったが、米国では対象範囲を広げた格好となっている。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 2 週間の間隔を置いて 2 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 stage 1 ～ 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 stage 1 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

米国での臨床試験の進捗状況については、新型コロナウイルス感染症拡大の影響で医療施設の体制が整わなかったこともあり、当初の予定から遅れ気味となっているが、2023 年には被験者登録を完了し、2024 年の試験結果発表を目指している。同社では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。

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.

そのほか、2019 年 2 月にはイスラエルの 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、今後、イスラエルでも当局からの販売承認が得られ次第、Kamada が販売を開始することになる。現在、Kamada が同社の臨床試験データを用いて当局と協議を進めている段階だが、新型コロナウイルス感染症の影響もあり、承認時期については 2021 年以降となる可能性が高いと弊社では見ている。

なお、HGF 遺伝子治療用製品の販売承認を条件付きながらも国内で得られたことで、遺伝子治療用製品としては国内初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同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 デコイオリゴは 2020 年第 4 四半期に臨床試験結果の中間発表を行う予定

2. NF-κ B デコイオリゴ

NF-κ B デコイオリゴは、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 月より米国で第 1b 相臨床試験（プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験）を開始し、2020 年 2 月に予定した 25 例の患者投与を完了している。今後、投与された患者を二重盲検で 6 ヶ月間の安全性と有効性（痛みの緩和など）を評価し、その後 6 ヶ月の非盲検観察期間で長期安全性、忍容性及び有効性を評価していくことになる。

同社は臨床試験の中間報告として、投与後 6 ヶ月間の安全性と有効性に関するトップラインデータを 2020 年第 4 四半期に発表する予定にしている。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いため、NF-κ B デコイオリゴの導入が進む環境は整っていると同社は考えている。ただ、鎮痛効果だけでは既存治療法との差別化が難しいため、椎間板変性に対する進行抑制や修復促進効果などが確認できるかどうかがポイントになると弊社では見ている。

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.

（2）次世代型「キメラデコイ」

同社は 2016 年 7 月に次世代型「キメラデコイ」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 デコイオリゴと比較して、「STAT6」と「NF- κ B」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 デコイオリゴに比べ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「キメラデコイ」は生体内での安定性に優れ、NF- κ B デコイオリゴよりも分子量が 3 ～ 4 割少ないため、生産コストも低く抑えることが可能になるといった長所を持っている。

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 デコイオリゴで開発を継続するが、今後新たに開発するものに関しては、基本的に「キメラデコイ」で進めていくことになる。現在は製品の完成度を高めている段階にあり、非臨床試験の開始時期は未定となっている。

高血圧 DNA ワクチンは、
第 1/2a 相臨床試験の結果次第で早期導出の可能性も

3. 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 ワクチンの開発を進めている。同ワクチンは大阪大学の森下教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、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、主力の治療薬としては ARB（アンジオテンシン II 受容体拮抗薬（経口薬））があるが、毎日服用する必要があり薬価も高い。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、1 回の治療で長期間の薬効が期待できるためトータルの治療コストは逆に低くなる可能性もあり、開発に成功すれば発展途上国も含めて普及拡大が期待される。

同社は 2018 年 4 月よりオーストラリアで第 1/2a 相臨床試験（プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験）を開始し、2020 年 3 月に予定した 24 例の患者への投与を完了した。今後、二重盲検下で 6 ヶ月間の安全性と有効性（血圧の低下等）を評価し、その後 6 ヶ月の非盲検下での長期安全性及び有効性を評価していくことになる。

同プロジェクトに関しても、2020 年第 4 四半期に中間報告として前半 6 ヶ月間の安全性及び有効性に関するトップラインデータを発表する予定としている。高血圧症に関しては市場規模も大きく、大手製薬企業からの関心度合いも高いため、試験結果の内容次第では比較的早期に導出が実現する可能性もあり、中間報告の内容が注目される。

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.

急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を適応疾患とした第 1 相臨床試験は 2020 年内の開始を目指す

4. 急性呼吸窮迫症候群治療候補薬

同社は 2018 年 7 月にカナダのバイオベンチャーである 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ている。具体的には、Vasomune が創製した化合物（Tie2 受容体アゴニスト化合物）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としている。

最初の適応疾患として重症の呼吸不全である急性呼吸窮迫症候群（以下、ARDS）※を想定した非臨床開発を進めている。ARDS については新型コロナウイルス感染症患者が重症化した場合に発症しやすく、死に至るケースが報告されている。2019 年までの年間患者数は米国と EU で年間約 37 万人、平均死亡率は 40% に達し、現時点では根本的な治療薬の無い疾患となる。新型コロナウイルス感染症拡大を受けて、ARDS 治療薬の開発について国内外で活発化しており、注目度が上昇している。Vasomune では 2020 年 5 月に ARDS 治療薬の開発に向けて、専門医等で構成される臨床科学諮問員会を立ち上げたことを発表しており、今後、同委員会のアドバイスも受けながら開発戦略を策定し、2020 年内に第 1 相臨床試験の開始を目指している。Vasomune と同社は臨床試験により POC を取得した段階で、製薬企業に開発・販売権を導出することを想定している。

※ ARDS は根本的な治療薬がなく、有効な ARDS 治療薬が開発できた場合の潜在的な事業機会は世界で 25 億米ドル以上と見られている。

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.

業績動向

2020 年 12 月期第 2 四半期累計業績は ほぼ前年同期並みの営業損失を計上

1. 2020 年 12 月期第 2 四半期累計の業績概要

2020 年 12 月期第 2 四半期累計の売上高は前年同期比 90.2% 減の 16 百万円、営業損失は 1,766 百万円（前年同期は 1,709 百万円の損失）、経常損失は 1,896 百万円（同 1,733 百万円の損失）、親会社株主に帰属する四半期純損失は 1,896 百万円（同 1,973 百万円の損失）とほぼ前年同期並みの水準となった。

2020 年 12 月期第 2 四半期累計業績（連結）

（単位：百万円）

	19/12 期 2Q 累計	20/12 期 2Q 累計		
	実績	実績	増減率	増減額
売上高	172	16	-90.2%	-155
売上原価	83	9	-89.0%	-74
研究開発費	1,130	1,104	-2.2%	-25
販管費	668	668	0.1%	0
営業利益	-1,709	-1,766	-	-56
経常利益	-1,733	-1,896	-	-162
特別損益	-234	5	-	240
親会社株主に帰属する四半期純利益	-1,973	-1,896	-	77

出所：決算短信よりフィスコ作成

2019 年第 3 四半期より販売を開始した「コラテジェン ®」の売上は徐々に増加しており、2020 年 12 月期第 2 四半期累計では 16 百万円を計上した。一方で、前第 2 四半期に販売終了したムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム ®」の 170 百万円等が無くなったことが減収要因となった。

事業費用では、「ナグラザイム ®」の販売終了に伴い売上原価が前年同期比 89.0% 減となったほか、研究開発費が同 2.2% 減の 1,104 百万円となった。米国における HGF 遺伝子治療用製品の第 2b 相臨床試験開始や、国内での新型コロナウイルス感染症向けワクチンの開発費用を計上したものの、研究用材料費の評価替計上額が前年同期よりも減少したことに伴い、研究開発費全体では若干減少した。また、販管費については「コラテジェン ®」の販売費用が増加したものの、新型コロナウイルス感染症拡大を受けて旅費交通費等の事業活動費が減少したこともあり、前年同期比で横ばい水準にとどまった。

営業外収支が前年同期比で 105 百万円悪化したが、これは新たに持分法適用関連会社となったバイオベンチャーの Emendo に係る持分法による投資損失 120 百万円を計上したことが主因だ。また、前年同期は特別損失として投資有価証券評価損 243 百万円を計上したが、2020 年 12 月期第 2 四半期累計で特別損失の発生はなく、親会社株主に帰属する四半期純損失については前年同期比で 77 百万円縮小する格好となった。

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.

2020 年 12 月期は新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発及び実用化を最重要課題として取り組んでいく方針

2. 2020 年 12 月期の業績見通し

2020 年 12 月期の業績見通しについては、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況や、HGF 遺伝子治療用製品の国内、米国での開発状況、事業提携の可能性や新規シーズの導入の可能性など、現時点で業績に影響を与える未確定な要素が多いことから、合理的な数値の算出が困難であると判断し非開示としている。研究開発費については、HGF 遺伝子治療用製品の国内における適応拡大のための臨床試験や米国での臨床試験が始まっていることから、前期比で数億円程度増加することが見込まれる。また、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用については、日本医療研究開発機構（AMED）の公募プロジェクト「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発」や厚生労働省の「ワクチン生産体制等緊急整備事業」に採用されたが、会計処理方法についてはまだ確定していない。

同社では新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発並びに実用化を経営の最重要課題と位置づけ、全社を上げて取り組んでいく方針を打ち出している。

新株予約権の行使により、財務基盤が大幅に強化される

3. 財務状況について

2020 年 12 月期第 2 四半期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 9,574 百万円増加の 22,099 百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産のうち現金及び預金は、新株予約権の発行及び行使に伴う 11,469 百万円の入金があった一方で、Emendo の株式取得及び当期事業費用への充当などもあって前期末比 3,512 百万円の増加となった。また、コロナワクチン開発費の前払い等により前渡金が同 701 百万円増加した。固定資産では Emendo の株式取得により投資有価証券が同 5,285 百万円増加した。

負債合計は前期末比 32 百万円減少の 437 百万円となった。また、純資産は同 9,606 百万円増加の 21,662 百万円となった。親会社株主に帰属する四半期純損失 1,896 百万円の計上があったものの、新株予約権の発行及び行使により、資本金及び資本剰余金が各 5,744 百万円増加し、新株予約権が 54 百万円増加したことが主因となっている。

なお、同社が 2020 年 3 月 4 日付で発行した第 37 回新株予約権（第三者割当て）については、株価がその後大きく上昇したこともあって 4 月までに行使をすべて完了している。当初の資金調達想定額は約 93 億円だったが、最終的に約 114 億円を調達している。調達資金の使途は、海外市場を含めた更なる開発パイプラインの拡充のための資金（45 億円）、HGF 遺伝子治療用製品の原薬の製造委託費用（16.5 億円）及び運転資金（32 億円）となっており、余力を持って開発パイプラインの拡充を進めることが可能になったと言える。

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.

連結貸借対照表

（単位：百万円）

	17/12 期	18/12 期	19/12 期	20/12 期 2Q	前期末比
流動資産	3,433	7,542	10,992	15,200	4,208
（現金及び預金）	1,147	5,784	10,040	13,552	3,512
固定資産	530	508	1,532	6,898	5,365
総資産	3,963	8,050	12,524	22,099	9,574
負債合計	341	316	469	437	-32
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産	3,621	7,734	12,055	21,662	9,606
経営指標					
自己資本比率	85.1%	95.4%	95.5%	97.4%	1.9pt
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

第三者割当による第 37 回新株予約権発行の際の調達予定額と使途

使途	想定金額（百万円）	支出予定時期
開発パイプライン拡充	4,517	2020年3月～2024年3月
HGF 遺伝子治療用製品の原薬の製造委託費用	1,650	2020年6月～2024年12月
運転資金	3,200	2020年3月～2022年2月

出所：会社発表資料よりフィスコ作成

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し、アライアンス戦略による新規事業への展開も視野に入れる

同社は長期ビジョンとして、「世界で認知される遺伝子治療･核酸医薬のスペシャリストとなること」、また、「治療法のない病気の新薬を実用化すること」の 2 点に取り組むことで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益（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。

基本戦略として、1）「コラテジェン」の事業価値最大化、2）ポスト「コラテジェン」の育成、3）新規事業領域への展開を掲げ、その取り組みを強化していく方針となっている。

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.

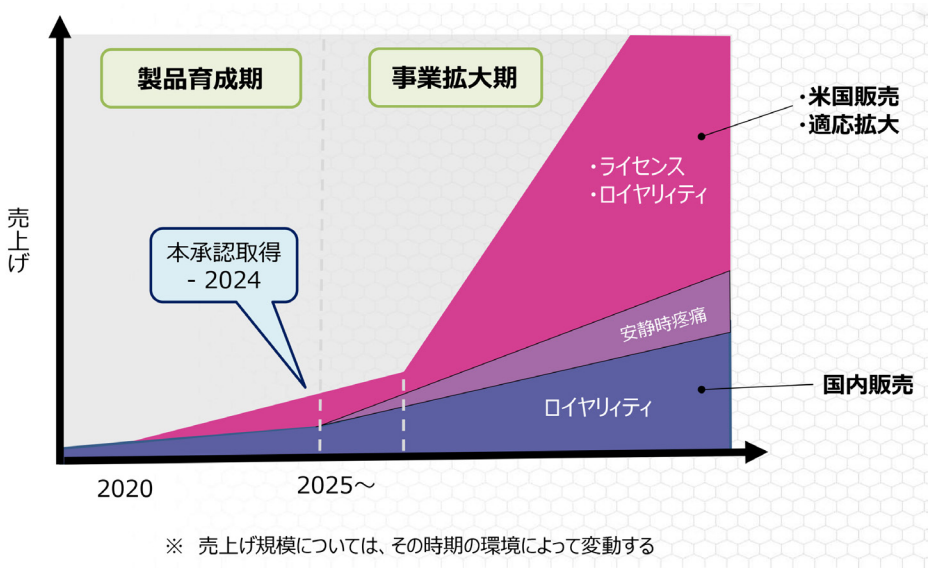
今後の成長戦略

1.「コラテジェン」の事業価値最大化

「コラテジェン」の国内戦略に関しては「潰瘍の改善」に関する市販化後調査を進め 2024 年の本承認と同時に、「安静時疼痛の改善」に適応拡大を図ることで、薬価の見直しを目指していく。また、米国では臨床試験を進め早期の販売承認を目指していくとともに、米国の開発状況を見ながら欧州でも上市を目指していく方針となっている。日米欧以外の国や地域でも導出活動を継続して進めていく予定だ。さらには、適応症拡大のための基礎試験・臨床研究も今後推進していく。

同社ではこうした戦略を進めることで「コラテジェン」の事業価値最大化を図っていく方針であり、海外での上市や適応拡大が進んだ段階で、売上高も本格的な拡大期に入るものと予想している。

「コラテジェン」の事業拡大



出所：決算説明会資料より掲載

2. ポスト「コラテジェン」の育成

「コラテジェン」に続く第 2 の柱を育成し、成長基盤の強化を図っていく。高血圧症を対象とした DNA ワクチンや椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴなど現在、臨床試験を進めている開発品の早期 POC 取得と導出活動に注力していくほか、キメラデコイの早期プロジェクト化を目標としている。また、新型コロナウイルス感染症ワクチンや Vasomune と共同開発する ARDS を対象疾患とした Tie2 受容体アゴニスト化合物に関しても今後の開発状況次第で収益に貢献することが期待される。

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.

3. 新規事業領域への展開

「次の 10 年」を見据えた新規事業の展開にも取り組んでいく方針で、以下の領域において資本提携先との協業も進めながら事業化を目指している。

（1）ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療薬の開発

同社はイスラエルに開発拠点を置く米国の Emendo に出資し※、Emendo が保有する先進のゲノム編集技術「OMNI（オムニ）」と、同社がこれまで遺伝子治療薬の開発で培ってきたノウハウを融合することで、新たな遺伝子治療薬の開発を目指している。

> ※ Emendo は最先端のゲノム編集技術を用いて重症疾患の遺伝子薬と細胞療法を開発するバイオベンチャーで 2015 年に設立。同社は 2019 年 3 月に最初の出資を行い、その後の追加出資で 2020 年 3 月には約 27% の出資比率となる持分法適用関連会社としている。

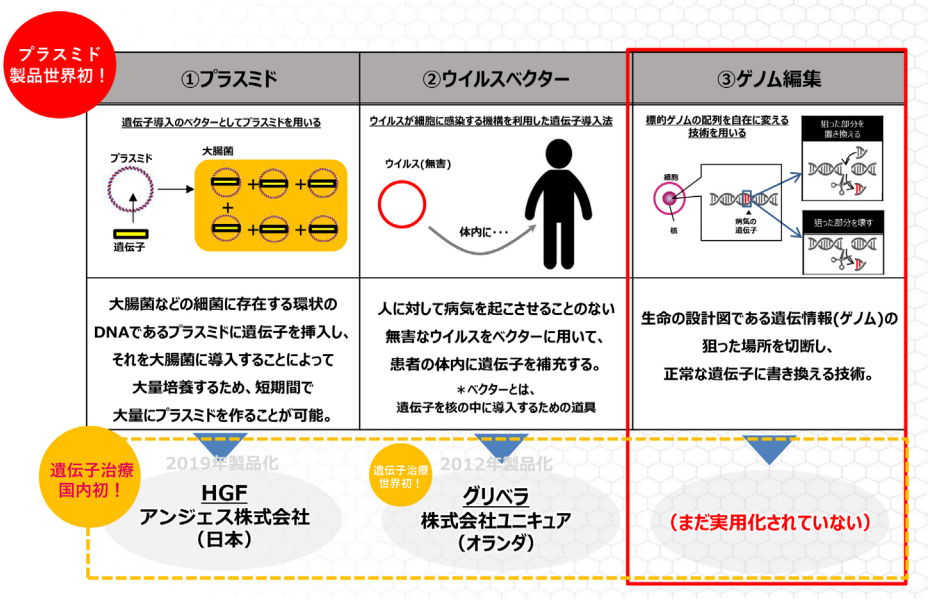
ゲノム編集とは、特定の塩基配列（標的配列）のみを切断する DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、思い通りに遺伝子を改変する技術を指し、農作物の開発などで普及が進んでいる。医療分野では、高効率に編集できる CRISPR/Cas9（クリスパーキャス 9）と呼ばれる技術を用いたゲノム編集の研究が主流となっているが、未だ実用化には至っていない。クリスパーキャス 9 では、標的配列とは異なる類似箇所を切断してしまう「オフターゲット効果」があるためで、こうした「オフターゲット効果」を回避する技術が「OMNI」となる。「OMNI」では塩基配列が 100% 相補的でなければ切断しない高精度なヌクレアーゼを、標的配列ごとに迅速に作出する技術であり、DNA 切断酵素としての汎用性は損なわれるものの、高度な特異性により安全性が向上する。また、確実に標的配列の切断が可能となるため、編集する標的配列の選択の自由度が増すといったメリットもあり、ゲノム創薬の開発効率向上につながる技術として同社では高く評価している。

遺伝子治療薬の製法には、「コラテジェン」のように遺伝子導入のベクターとしてプラスミドを用いたもの、人に対して無害なウイルス（アデノウイルス、センダイウイルスなど）をベクターとして用いたもの、ゲノム編集技術を用いたものと大きく 3 つの方式があり、このうちゲノム編集技術を用いた遺伝子治療薬に関してはまだ世界でも上市実績がないが、「OMNI」技術の活用により大きく前進することが期待される。新型コロナウイルス感染症の影響で協業のスケジュールはやや遅れたものの、今後、Emendo が取り組んでいる複数の開発パイプラインのうち、遺伝子疾患を対象とした品目について共同開発を進めるべく、今後両社で計画を策定していく予定となっている。

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.

今後の成長戦略

ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療薬



出所：決算説明会資料より掲載

（2）がん診断事業

2019 年 8 月に資本出資したイスラエルの Barcode Diagnostics（以下、Barcode）が持つ遺伝子診断技術※を用いて、がん患者一人ひとりに最も有効な抗がん剤を選択する診断技術の早期実用化に取り組んでいく。現在は複数の抗がん剤の中から患者に合うと思われる抗がん剤を臨床データや患者の状態などから医師が判断して投与するが、第一選択薬で効果が見られず別の抗がん剤を投与するケースもある。遺伝子解析を行うことでより最適な抗がん剤の選択が可能となれば、患者負担が軽減するだけでなく医療費の削減にも寄与することになる。

※ Barcode の診断技術は、患者に有効性が期待できる抗がん剤と DNA バーコードを封入したリポソームを複数製造し、多種類の抗がん剤をごく少量ずつ一度に患者に投与したのち、DNA バーコード量を測定することで、個々の患者に有効な抗がん剤を特定するというもの。マウスを使った実験で特定できることが確認されており、将来的に乳がん患者を対象とした臨床試験の実施を目指している。

同社は 2020 年 2 月に公益財団法人がん研究会と共同研究契約を締結し、早期の実用化に向けて共同開発を開始している。がん研究会は、がんの新しい診断・治療法の開発において国際的にも評価の高い研究機関であり、がん細胞に対する抗がん剤の有効性データも数多く蓄積している。既に、実用化に向け Barcode の診断技術を用いた実証データも出始めているようで、今後の動向が注目される。また、遺伝子診断では、がん疾患以外にも新生児の難病や希少疾患の早期診断でも需要があると見られ、将来的に取り組んでいく予定にしている。

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.

(3) マイクロバイオーム事業

マイクロバイオーム※1 を用いた医薬品の研究開発が世界的に注目を集めており、同社も同領域のパイオニア企業である MyBiotics と 2018 年 7 月に資本提携を締結し、事業化の可能性を探索している。MyBiotics は現在、婦人科系の治療薬について欧州の大手製薬企業とライセンス契約を締結し、製剤化に向けた開発を進めているほか、感染症等の治療薬についての開発も進めている。また、2020 年 1 月には MyBiotics のプロジェクト※2 が、専門家の厳正な審査を経て評価され、EIC Accelerator Pilot※3 の資金援助先として選抜され、約 200 万ユーロの資金援助を受けることになったことを発表している。

※1 マイクロバイオーム（微生物叢）とは、ヒト微生物叢のゲノムとそれが発現する遺伝子群及び微生物叢とヒトの相互作用を含む広い概念を指す。この微生物叢とヒトとは共生しており、ヒトの身体は微生物叢の集合体とも言える。近年では生活習慣の変化がマイクロバイオームの生理状態の変化を誘導し、それが各疾患の増加に関係しているとの報告もあり、菌を活用して医療やヘルスケアに役立てる研究が活発化している。
※2 あらゆる民族、年齢、性別に関係なく、病気や慢性疾患の治癒、健康サプリ、薬品としての目的など、世界初となる 1 人 1 人にパーソナライズされた腸内細菌の生成を可能とする「MB Select」というプロジェクト。
※3 European Innovation Council（EIC）が、市場創出の可能性を秘めた画期的なイノベーションを強力に後押しすることを目的として、高リスクだが潜在的な力を秘めた製品・サービスを開発する企業に対して資金支援を行うプログラム。資金提供対象となるのは、EU 加盟国又は Horizon2020 の関連国に設立された営利目的の中小企業のみ（イスラエルは Horizon2020 の関連国）。

マイクロバイオームの働きは精神疾患に関係しているとの研究報告があるほか、健康食品やサプリメントとして開発が進む可能性があるなど潜在的な成長性は大きい。同社も将来的にセルフメディケーションにつながる可能性のある事業として注目しており、今後の具体的な開発の方向性について検討を進めている段階にある。

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.

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 5-11-9
株式会社フィスコ
電話：03-5774-2443（情報配信部）
メールアドレス：support@fisco.co.jp