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 >>>

2021 年 3 月 25 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. 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. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」は米国で臨床試験を開始 01
3. 先進のゲノム編集技術を有する Emendo を買収 01
4. 海外機関投資家に向けた新株予約権の発行を決議 02
5. その他開発パイプラインの動向 02
6. 業績動向 02

■会社概要 03
1. 会社沿革 03
2. 事業の特徴とビジネスモデル 05

■新型コロナウイルス感染症向けワクチン及び治療薬の開発状況について 06
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 06
2. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」の開発状況について 08

■ Emendo の買収について 09

■主要開発パイプラインの動向 12
1. HGF 遺伝子治療用製品 13
2. NF- κ B デコイオリゴ 15
3. 高血圧 DNA ワクチン 16

■海外機関投資家に向けた新株予約権の発行について 17

■業績動向 19
1. 2020 年 12 月期の業績概要 19
2. 2021 年 12 月期の業績見通し 20
3. 財務状況について 20

■今後の成長戦略 22
1.「コラテジェン ®」の事業価値最大化 22
2. ポスト「コラテジェン ®」の育成 23
3. 新規事業領域への展開 23

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

## 先進のゲノム編集技術を持つ Emendo の買収により、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す体制が整う

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 2020 年 12 月より第 2/3 相臨床試験を関西及び関東の 8 つの施設で実施しており、2021 年 3 月 10 日に 500 症例での接種が予定通り完了したことを発表した。試験結果は 2021 年初夏の公表を予定している。試験結果の内容が良好であれば、第 3 相臨床試験に進むことになるが、治験規模が 1 万人以上と大規模治験となるため、国の助成金が付くかどうかがカギを握ることになる。ワクチンの国産化を望む声は強いことから、同試験結果の内容が注目される。

**2. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」は米国で臨床試験を開始**

カナダの Vasomune Therapeutics（バソミューン・セラピューティクス）（以下、Vasomune）と共同開発を進めている「AV-001」について、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、2020 年 12 月より米国で第 1 相臨床試験を開始している。次のステップの臨床試験でも良好な結果が得られれば、米国 FDA（米国食品医薬品局）に緊急使用許可を申請することを検討している。「AV-001」の開発については 2020 年 8 月に、米国国防総省からの「医療研究プログラム（PRMRP）」として 280 万ドルの助成金を獲得しており、米国でも注目度の高いプロジェクトとなっている。これにより同社は、新型コロナウイルス感染症を対象とするワクチンと治療薬の両方のパイプラインを持つこととなる。

**3. 先進のゲノム編集技術を有する Emendo を買収**

同社は、2020 年 12 月に、遺伝子治療分野のゲノム編集で先進の技術を持つ、EmendoBio（以下、Emendo）の買収を完了した。すでに約 40% の Emendo 株式を保有し、持分法適用関連会社としていたが、残り約 60% の株式に対する対価を主に同社の普通株式（約 1,005 万株）により支払った（一部現金での支払いあり）。Emendo を子会社化したことで、「遺伝子治療プログラムと次世代ゲノム編集プラットフォーム技術を有する世界初の企業」となり、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す体制を構築したことになる。今後は、両社の経験及び専門知識を融合して、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品の実用化及び適応拡大の加速化を目指していくことになる。

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.

**4. 海外機関投資家に向けた新株予約権の発行を決議**

同社は、2021 年 3 月 8 日開催の取締役会において、第三者割当による第 41 回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行を決議したことを発表。募集の目的は、完全子会社化した Emendo が安定的に研究開発を進めていくための運営資金の調達と開発パイプラインの拡充による事業基盤の拡大のための資金調達としている。今回発行する本新株予約権の特徴は、同社普通株式を長期保有の意向を有する海外機関投資家に対して売却していく意向を有している点である。これにより、海外の機関投資家による安定的な同社への投資や、グローバル市場、特に米国での同社のプレゼンスが上がること、また、株価への影響も軽減され又は漸次的なものとなり、株価のボラティリティを抑制できることも期待されるとしている。

**5. その他開発パイプラインの動向**

そのほかのパイプラインでは、米国で実施している椎間板性腰痛症を適応症とした NF-κB デコイオリゴの後期第 1 相臨床試験の中間結果（投与後 6 ヶ月間のデータ）を 2021 年 2 月に発表している。安全性や忍容性が確認されたほか、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続が認められており、治験責任医師からも高い評価を受けている。今後は 12 ヶ月間の経過観察期間の結果も踏まえて、第 2 相臨床試験に移行する予定となっている。また、オーストラリアで実施していた高血圧 DNA ワクチンの第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験についての初期の試験結果も同年 2 月に発表された。安全性に問題がなく、アンジオテンシン II に対する抗体産生も確認されたとしており、今後、安全性、免疫原性及び有効性を評価する試験を継続していくことになる。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※している HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」の市販後調査については順調に進捗しており、2024 年の本承認取得を目指す予定に変わりない。同様に 2019 年 10 月より国内で開始した慢性動脈閉塞症の「安静時疼痛の改善」を確認する第 3 相臨床試験も順調に進捗している。一方、米国で 2020 年 2 月より開始した下肢切断リスクの低い慢性動脈閉塞症患者を対象とした「下肢潰瘍の改善効果」を主要評価項目とする後期第 2 相臨床試験については、新型コロナウイルス感染症拡大の影響で進捗がやや遅れていたものの、試験施設の体制整備を進めたことで、当初の予定に軌道修正できたとしている。

※「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。

**6. 業績動向**

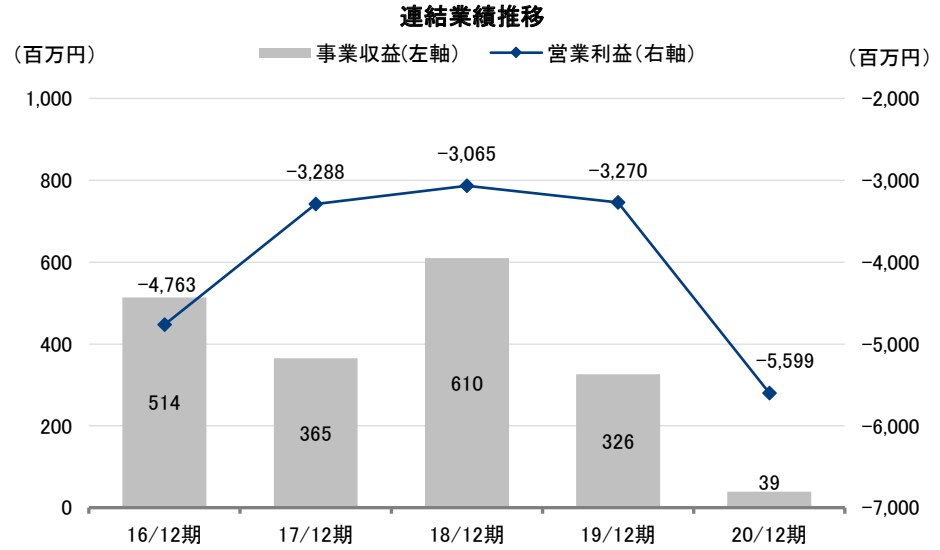
2020 年 12 月期の事業収益は、前期比 87.8% 減の 39 百万円、営業損失は 5,599 百万円（前期は 3,270 百万円の損失）となった。前期に売上計上していたムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム ®」の販売が 2019 年 12 月期の第 2 四半期で終了したほか、研究開発事業収益が無くなったことなどが減収要因となった。費用面では、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用を中心に研究開発費が前期比で 1,581 百万円増加したこと、Emnedo の買収に伴うコンサルティング費用や租税公課の増加等により販管費が同 525 百万円増加したことが営業損失の拡大要因となった。なお、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国の各種助成金で賄われているが、まだ、プロジェクトが完了していないため期間損益には反映されていないが、貸借対照表上には前受金として 3,594 百万円が計上されている。2021 年 12 月期の業績見通しについては、合理的な算定ができないことから未定としている。なお、2020 年 12 月期末の現金及び預金は約 115 億円となっており、当面の事業活動を進めていくうえでの資金は確保されているものと判断される。

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.

要約

**Key Points**

- 新型コロナウイルス感染症ワクチンは第 2/3 相臨床試験での 500 症例の接種を完了、2021 年初夏に結果が判明する見通し
- 新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」は第 1 相臨床試験に続く臨床試験で良好な結果が得られれば、FDA に緊急使用許可を申請することも検討
- 先進のゲノム編集技術を有する Emendo を完全子会社化
- 海外機関投資家に限定した第 41 回新株予約権（第三者割当て）の募集を決議
- 椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴは、後期第 1 相臨床試験の中間報告で安全性と忍容性を確認、痛みの軽減など有効性も想定以上の結果となる




出所：決算短信よりフィスコ作成

# 会社概要

## 大阪大学発のバイオベンチャーで、遺伝子医薬に特化した開発を進める

### 1. 会社沿革

同社は 1999 年に設立された大阪大学発のバイオベンチャーで、HGF 遺伝子（肝細胞増殖因子）の投与による血管新生作用の研究成果を事業化することを目的に設立された。

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 月より後期第 2 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-κB 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後期第 1 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 相 / 前期第 2 相臨床試験を 2018 年 4 月よりオーストラリアで開始し、いずれも 2021 年 2 月に中間結果を発表している。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、2020 年 12 月より第 2/3 相臨床試験を国内外で開始している。

アライアンス戦略については、カナダの Vasomune と共同開発を進めている新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬候補品となる「AV-001」に関する第 1 相臨床試験を、2020 年 12 月より米国にて開始している。また、2019 年 3 月より出資した先進のゲノム編集技術を開発する米国の Emendo について、2020 年 12 月に 100% 子会社化したことを発表した。そのほか出資先としては、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.（以下、MyBiotics）や、個々のがん患者に最適な抗がん剤を選択するための診断技術を提供するイスラエルの Barcode Diagnostics Ltd.（以下、Barcode）に出資している。

**会社沿革**

| 年月 | 沿革 |
|---|---|
| 1999年12月 | 遺伝子治療用製品、核酸医薬及び遺伝子の機能解析を行う研究用試薬の研究開発を目的として設立 |
| 2001年10月 | 米国での臨床開発を目的として、アンジェス インク（連結子会社）を設立 |
| 2002年 6月 | 欧州での臨床開発を目的として、英国にアンジェス ユーロ リミテッドを設立（2019 年に清算） |
| 2002年 9月 | 東京証券取引所マザーズ市場に上場 |
| 2006年12月 | ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム ®」の国内での販売に関し、米国 BioMarin Pharmaceutical と提携 |
| 2008年 4月 | ムコ多糖症VI型治療薬の国内での販売開始 |
| 2010年12月 | NF-κB デコイオリゴ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<br>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-κB 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<br>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<br>米国の EmendoBio と資本提携<br>ナグラザイム ® の販売権を BioMarin Pharmaceutical の日本法人に承継 |
| 2019年 8月 | イスラエルのバイオハイテク企業である Barcode Diagnostics と資本提携 |

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.

| 年月 | 沿革 |
|---|---|
| 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 |
| 2020年 9月 | 米 Brickell Biotech（旧、Vical）と新型コロナウイルス感染症 DNA ワクチンの共同開発契約を締結 |
| 2020年11月 | 米 EmendoBio の買収合意を発表 |
| 2020年11月 | 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」の米国での臨床試験の FDA 承認を発表 |
| 2020年12月 | 国内外で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの第 2/3 相臨床試験を開始<br>EmendoBio を完全子会社化<br>Vasomune と共同開発を進めている新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」の第 1 相臨床試験を米国で開始 |

出所：有価証券報告書、会社資料、決算説明会資料よりフィスコ作成

## 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」、「希少疾患」などとしている。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。

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

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ワクチン及び治療薬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第 2/3 相臨床試験で 500 症例の接種を完了 2021 年初夏に結果が判明する見通し

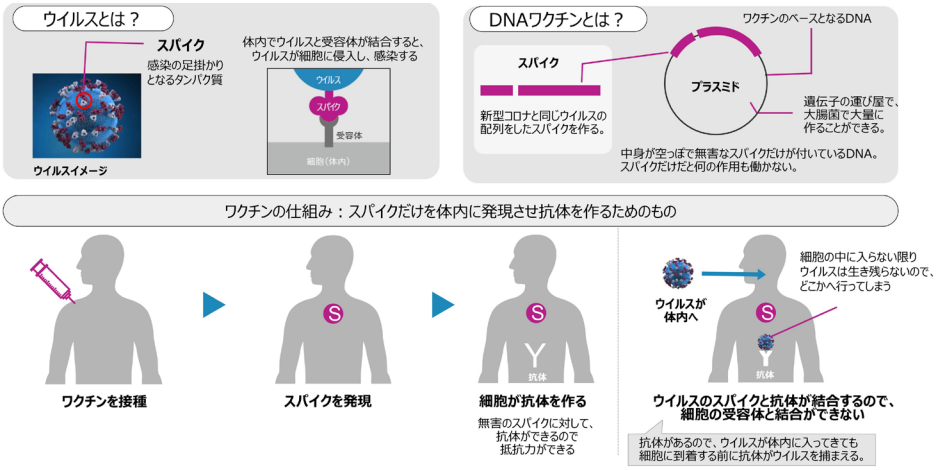
### 1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況について

新型コロナウイルス感染症ワクチンについては 2020 年 12 月以降、欧米などで米ファイザー <PFE> やモデルナ〈MRNA>、イギリスのアストラゼネカ <AZN> など大手製薬企業の開発した製品の承認が相次ぎ、集団接種が開始されている。国内においてもファイザーのワクチンが特例承認を受けており、医療従事者や高齢者を対象に予防接種が始まっているほか、春頃にはアストラゼネカのワクチンも承認が見込まれている。

同社が 2020 年 3 月より大阪大学と共同で開発しているプラスミド DNA※1 製法を用いたワクチンは、新型コロナウイルスの遺伝子をプラスミドに挿入し、このプラスミドを大腸菌で大量培養した後に DNA を抽出して製剤化する。無害化された DNA ワクチンを投与することで、新型コロナウイルスに対する免疫（抗体※2）を作り、感染症の発症や重症化を防ぐことが可能となる。

※1 プラスミド（plasmid）とは、大腸菌などの細菌や酵母の核外に存在し、細胞分裂によって娘細胞へ引き継がれる DNA 分子の総称。一般的に環状の 2 本鎖構造を取り、染色体の DNA から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 遺伝子治療用製品「コラテジェン ®」が上市済みであり、製法そのものについての安全性は確認されている。
※2 ウイルスや細菌などの抗原が体内に入り込んだとき、そのたんぱく質に反応し、体から追い出すためにできる対抗物質。

新型コロナウイルス感染症向け DNA ワクチン開発について




出所：会社提供資料より掲載

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.

現在の開発状況については、2020 年 12 月より第 2/3 相臨床試験（予定症例数 500 例）を実施している。試験概要は、用量 2.0mg を 2 週間隔で 2 回接種するグループと、4 週間隔で 2 回接種するグループに分けて実施する（各グループ 250 例のうち 50 例はプラセボ）。ワクチンの用法及び用量における安全性と免疫原性の評価を目的とし、2021 年 3 月 10 日に 500 症例の接種を予定通り完了したことを発表している。順調に進めば試験結果は同年初夏に発表できる見通しとなる。なお、第 1/2 相臨床試験での有効性に関するデータも合わせて発表する方針となっている。

第 2/3 相臨床試験の結果が良好であれば、大規模な第 3 相臨床試験を開始すべく、PMDA と協議を開始することになるが、症例数が 1 万人～数万人規模になり、先行承認されているワクチンが海外での臨床試験も実施していることから、同社においても国内だけでなく海外での臨床試験を進めていくことになると予想される。このため、開発資金については国からの助成金が必須となり、海外での臨床試験を円滑に進めるためのパートナーも必要となってくると見られる。ワクチンの国産化は今後のことも見据えると重要性が高いと考えられるため、第 2/3 相臨床試験の有効性評価において先行するワクチンと同等以上であることが確認されれば（前臨床試験のデータでは遜色ない結果が得られている）、助成金が付く可能性も高いと弊社では見ており、同試験結果の内容が注目される。

なお、現在の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ている。具体的には、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 6 月－ 2021 年 3 月）の支援を受けているほか、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、タカラバイオ <4974> などが大規模生産体制の構築を進めている。そして、AMED が公募した「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発」（2 次公募、研究開発予定期間：2020 ～ 2021 年度目途）にも同年 8 月に採択されており（金額は非開示）、新型コロナウイルス（COVID-19）を標的とした DNA ワクチンの臨床開発を推進している。なお、2020 年 12 月期末時点で AMED 及び厚生労働省からの助成金の一部が入金されており、前受金として 3,594 百万円計上している。

なお、同社のワクチン共同開発プロジェクトについては、多くの企業が参画している。ワクチンの製造に関してはタカラバイオをはじめ、AGC Biologics S.p.A.、Cytiva、シオノギファーマ ( 株 )、Kaneka Eurogentec S.A. などが大規模治験に向けた体制整備に取り組んでいる。また、次世代ワクチンの開発についてもダイセルの薬剤送達デバイスに関する臨床研究を大阪大学にて進めるなど、様々な研究開発が行われている。

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.

**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 |
|---|---|---|---|
| 2020年3月5日 | タカラバイオ | | ワクチン製造体制強化 |
| 2020年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 ™ 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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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。 |
| 2020年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

## 新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」は第 1 相臨床試験に続く臨床試験で良好な結果が得られれば、FDA に緊急使用許可を申請することも検討

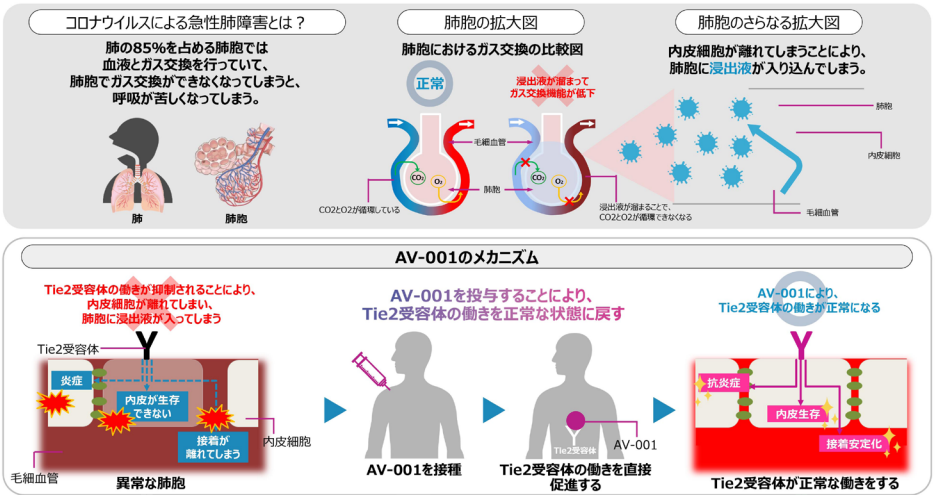
### 2. 新型コロナウイルス感染症（COVID-19）治療薬「AV-001」の開発状況について

カナダの Vasomune と共同開発を進めている「AV-001」（Tie2 受容体アゴニスト化合物）※に関して、2020 年 12 月より中等度から重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者向け治療薬として、第 1 相臨床試験を米国で実施しており、安全性と忍容性を確認する試験となる。肺炎患者は、ウイルスの影響で Tie2 受容体の働きが抑制されることにより肺の血管機能が壊れ、肺胞に浸出液が入り込むことで肺炎を発症する。「AV-001」は Tie2 受容体の働きを活性化させる効果があり、これによって血管機能が正常化し、肺胞に浸出液が入り込まなくなることで、炎症を沈静化させるメカニズムとなっている。

※ 同社は 2018 年 7 月に Vasomune と、急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした医薬品の共同開発契約を締結した。具体的には、Vasomune が創製した化合物「AV-001」（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領域の疾患に関する知見とノウハウを、今回の共同開発で生かしていく。

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（COVID-19）治療薬「AV-001」




出所：決算説明会資料より掲載

急性肺炎による呼吸不全が新型コロナウイルス感染症患者の死亡原因の一つとなっており、「AV-001」の開発に成功すれば死亡率の低減につながるものと期待される。2020 年 8 月には「AV-001」の開発について、米国国防総省からの PRMRP として 280 万ドルの助成金を Vasomune が獲得しており、米国でも注目度の高いプロジェクトの一つとなっている。このため、同社では次のステップの臨床試験の結果が良好であれば、米国 FDA に緊急使用許可を申請することを検討している。「AV-001」の開発進展により同社は、新型コロナウイルス感染症を対象とする予防ワクチンと治療薬の両方のパイプラインを持つこととなる。

# Emendo の買収について

## 先進ゲノム編集技術を持つ Emendo を買収、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す体制を構築

同社は、2020 年 12 月に先進のゲノム編集技術を有する米国の Emendo を完全子会社化したことを発表した。Emendo については 2019 年 3 月に最初の出資を行い、その後段階的に追加出資を実施して約 40% の株式を保有し、持分法適用関連会社としていたが、残り約 60% の株式を有する Emendo 出資者に対して、間接的に第三者割当による新株式を発行し（約 1,005 万株、発行価額 1,108 円）、株式交換する形で取得した（一部現金での支払いあり）。

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.

**Emendo の連結業績**

（単位：百万円）

| | 17/12 期 | 18/12 期 | 19/12 期 |
|---|---|---|---|
| 売上高 | - | - | - |
| 営業利益 | -319 | -337 | -567 |
| 親会社株主に帰属する当期純損失 | -325 | -345 | -718 |

※為替レート 105 円 / ドル換算で算出

**子会社化前の Emendo の主たる出資者と出資比率**

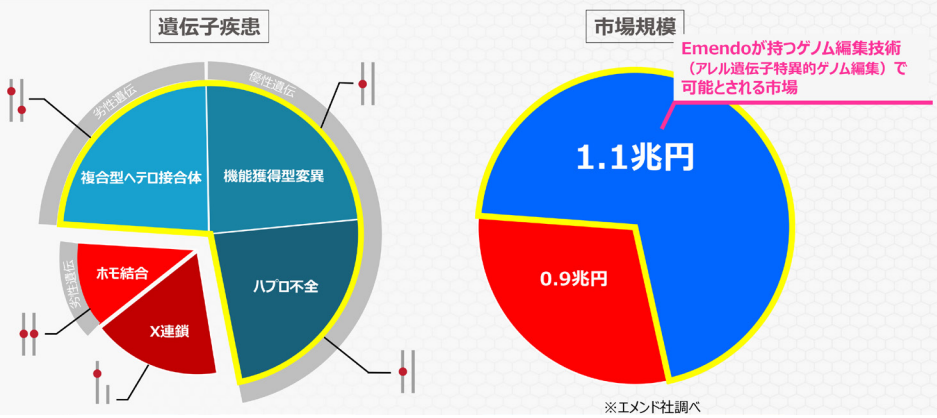
| 出資者 | 出資比率 | 事業内容 |
|---|---|---|
| 同社 | 40.04% | - |
| OrbiMed Israel Partners II , LP | 22.50% | ヘルスケアに特化した投資ファンド |
| Takeda Ventures Inc. | 13.72% | 武田薬品工業の CVC |
| Orbimed Private Investments VI , LP | 13.57% | ヘルスケアに特化した投資ファンド |
| David Baram | 3.61% | Emendo の CEO |
| Shilo Ben Zeev | 3.12% | - |
| Noam Diamant | 1.17% | - |

出所：会社リリースよりフィスコ作成

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や遺伝子治療プログラムを融合することで、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品の実用化及び適応拡大の加速化を目指していく。また、「OMNI™」のプラットフォーム技術を他社に提供し、ライセンスフィーを得ていくことも検討していく。Emendo を子会社化したことで、「遺伝子治療プログラムと次世代ゲノム編集プラットフォーム技術を有する世界初の企業」となり、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す体制を構築したことになる。

Emendo ののれん評価額は約 227 億円となっており、同社にとっては大きな経営判断だったと言えるが、Emendo の「OMNI™」技術によって治療可能な遺伝子疾患の領域は広く、潜在的な市場規模は 1.1 兆円規模になると同社では推計している。現在、Emendo では血液系、眼科、皮膚科系、がん疾患領域において複数のパイプラインの開発を進めており、今後の開発状況の進展が注目される。

**Emendo の技術で治療可能な適応症と見込まれる市場規模**




出所：決算説明会資料より掲載

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.

**Emendo の開発パイプライン**

| 開発パイプライン | 開発コード | 開発ステージ | 協力機関 |
|---|---|---|---|
| 重度の先天性好中球減少症 | EMD-101 | 前臨床 | ワシントン大学 |
| 原発性免疫不全症 | EMD-102 | 前臨床 | NIH |
| 骨髄不全 | EMD-103 | 前臨床 | NIH |
| 眼科系遺伝性疾患 | EMD-201,202 | R&D | コロンビア大学 |
| 皮膚科系遺伝性疾患 | EMD-301,302 | R&D | 非開示 |
| がん疾患 | - | R&D | 非開示 |

出所：Emendo ホームページよりフィスコ作成

なお、ゲノム編集とは、特定の遺伝子（DNA 配列）を DNA 切断酵素（ヌクレアーゼ）によって特異的に切断、編集、改変する技術のことで、ゲノム編集により特定の遺伝子の機能を失わせたり、疾患の原因となっている遺伝子の異常を修正する方法が複数開発されてきた。なかでも、CRISPR/Cas9 は従来技術よりも短時間で簡単に標的となる DNA 配列を切断できる革新的な技術として評価されており、その開発者であるエマニュエル・シャルパンティエ教授とジェニファー・ダウドナ教授が、2020 年のノーベル化学賞を受賞したことは記憶に新しい。

Emendo では、これまで一般に用いられてきた既存の Cas9 ヌクレアーゼとは異なる新規の RNA 誘導型ヌクレアーゼ（ガイド RNA がゲノム上の標的配列に Cas9 ヌクレアーゼを誘導する）を探索し、これらをゲノム編集に応用する独自の技術プラットフォーム「OMNI™」技術を確立している。Emendo が開発する OMNI™ ヌクレアーゼの長所は、ターゲット遺伝子ごとにヌクレアーゼが最適化されるため、高い効率と精度を持ってゲノム編集ができる点にある。ヒトでの遺伝子疾患治療薬の開発では、対立遺伝子特異的なゲノム編集を高精度に行う必要があったが、「OMNI™」はそのブレイクスルーとなる技術として注目される。このため、今後は「OMNI™」のプラットフォーム技術の利用を希望する企業も出てくることが予想され、こうした企業に対してライセンス契約を行い、ライセンスフィーによって収益を獲得していくことも検討している。今後考えられる適応症としては、血液系や眼科、皮膚科、がん疾患以外にも、神経系、免疫疾患、循環器系のほか、治療法のない常染色体顕性遺伝子疾患、厳密な発現調節を要する遺伝子疾患など多岐にわたる。

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 つの方式があるが、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く、「OMNI™」技術の活用により大きく前進することが期待される。同社では、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.

# 主要開発パイプラインの動向

同社の主要開発パイプラインには、HGF 遺伝子治療用製品、NF-κB デコイオリゴ、DNA ワクチン等がある。各パイプラインの概要と進捗状況、今後の開発方針は以下のとおり。

**主要開発パイプラインの状況**

■条件及び期限付き承認制度

| プロジェクト | 地域 | 導出先 | 適応症 | 開発ステージ |
|---|---|---|---|---|
| HGF 遺伝子治療用製品 | 日本 | 田辺三菱製薬 | 慢性動脈閉塞症（潰瘍の改善） | 条件・期限付き製造販売承認を 2019 年 3 月に取得、同年 9 月より発売を開始するとともに、市販後調査を実施中 |

■通常の承認制度

| プロジェクト | 地域 | 導出先 | 適応症 | 開発ステージ |
|---|---|---|---|---|
| HGF 遺伝子治療用製品 | 日本 | 田辺三菱製薬 | 慢性動脈閉塞症（安静時疼痛緩和） | 第 3 相臨床試験中（2019 年 10 月～、予定症例数：約 40 例） |
| | 米国 | 田辺三菱製薬 | 慢性動脈閉塞症（潰瘍、血流の改善） | 第 2b 相臨床試験中（2020 年 2 月～、予定症例数：60 例） |
| | イスラエル | Kamada | 慢性動脈閉塞症 | Kamada が規制当局と協議を行い、申請準備中 |
| | トルコ | Er-Kim | 慢性動脈閉塞症 | Er-Kim とトルコでの独占的販売権許諾に関する基本合意書を 2020 年 10 月締結（申請準備中） |
| NF-κB 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～） |
| 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～） |
| DNA ワクチン（予防用） | 日本 | - | 新型コロナウイルス感染症 | 2020 年 12 月に第 2/3 相臨床試験を開始（予定症例数 500 例） |
| | 米国 | - | | 2020 年 9 月に米 Brickel Biotech と共同開発契約を締結 |
| Tie2 受容体アゴニスト化合物 | 海外 | - | 新型コロナウイルス感染症及び急性呼吸窮迫症候群 | 2018 年 7 月に Vasomune と共同開発契約を締結、米国で第 1 相臨床試験中（2020 年 12 月～） |

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臨床試験は日米で登録症例数の積み上げが進む

### 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）、症状が残存する場合には 4 週間後に 3 回目の投与を行うことも可能となっている。

> ※ 本承認の条件は、承認日から 5 年以内に、1）重症化した慢性動脈閉塞症に関する十分な知識・治療経験を持つ医師のもとで、創傷管理を複数診療科で連携して実施している施設で本品を使用すること、2）条件及び期限付き承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品を使用する症例全例を対象として製造販売後承認条件評価を行うこと、の 2 項となる。

今回は条件及び期限付承認となるため、製造販売後承認条件評価を行うことになっており、5 年以内に 120 症例のデータを収集し、非投与群 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ると同時に、実施医療施設も増やしており、進捗状況は 2021 年 2 月時点で約 90 例と順調に進んでいるもようだ。同社の目標としては 3 年程度で終了し、2024 年 3 月の本承認取得を目指している。

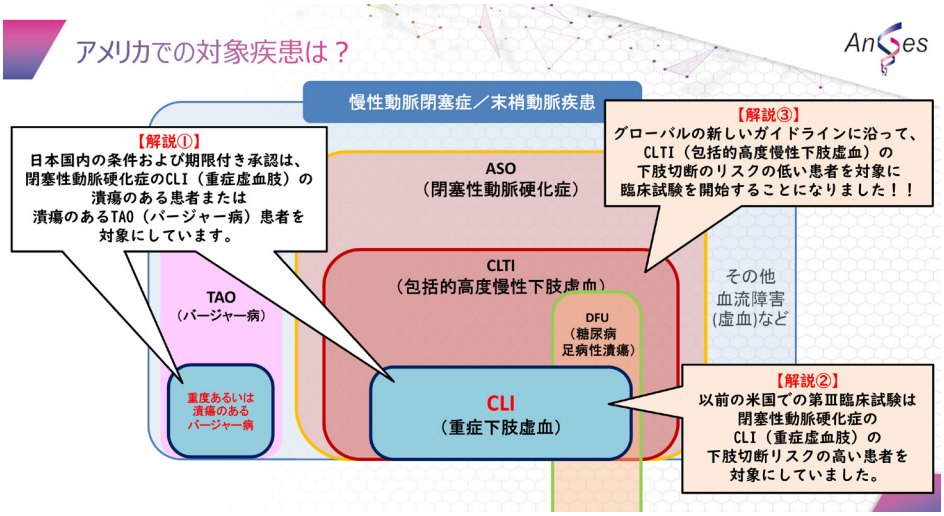
加えて、同社は「コラテジェン ®」の対象領域を広げるため、慢性動脈閉塞症での「安静時疼痛の改善」を目的とした第 3 相臨床試験も 2019 年 10 月より開始している。予定症例数は約 40 例（うち、プラセボ群 18 例）としている。新型コロナウイルス感染症の影響で医療施設の体制が整わず、当初の予定よりは進捗が若干遅れていたが、2020 年秋以降は体制整備が進んだことで、2020 年 12 月時点で約半分まで登録症例数が積み上がっている。こちらも 2022 年までに臨床試験を終了し、承認申請を目指すことになる。

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 月より後期第 2 相臨床試験がスタートしている。2019 年 6 月に閉塞性動脈硬化症のうち、包括的高度慢性下肢虚血についてのグローバル治療指針※が公表されており、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。主要評価項目は「下肢潰瘍の改善効果」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 stage1～4）に分け、それぞれのステージにおける治療方針が示されており、今回の試験では下肢切断リスクの低い clinical stage1 と 2 を対象としている。このステージの患者には、まず潰瘍の治療を考慮することがガイドラインで推奨されており、該当する患者は全体の約 60% と専門家は指摘している。

**米国で臨床試験開始の対象疾患**




出所：決算説明会資料より掲載

米国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おり、現状もニューヨークやロサンゼルスなどの大都市部では困難な状況となっているが、2020 年秋以降に体制整備を進めた地方都市部において登録ペースが上がってきているようだ。同社では 2023 年までに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。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薬事承認が得られ次第、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にある。また、2020 年 10 月にはスペシャルティ薬（特定疾患専門薬）を扱うトルコの Er-Kim とも、トルコでの導出に関する基本合意書を締結したことを発表している。今後、Er-Kim はトルコ当局での薬事承認を取得後に独占販売権を有し、販売、マーケティング、現地での医療活動に関する役割を担っていくことになる。また、薬事承認に先立って、Named Patient Program ※を活用したトルコでの販売を開始する予定にしている。

※ Named Patient Program とは、特定の患者に代わって、医師からの要求に応じて、人道的見地から当該国での未承認の医薬品を提供するプログラムのこと。同プログラムに申請して承認されれば、患者は後期段階の臨床試験中の薬や他国で既に承認済みの薬の提供を受けることが可能となる。

なお、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、国内初の遺伝子治療用製品となっただけでなく、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して世界初となり、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-κB デコイオリゴは、後期第 1 相臨床試験の中間報告で安全性と忍容性を確認、痛みの軽減など有効性も想定以上の結果となる

### 2. NF-κB デコイオリゴ

NF-κB 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-κB」に対する特異的な阻害剤となる。主に NF-κB の活性化による過剰な免疫・炎症反応を原因とする疾患の治療薬として、研究開発を進めている。

**（1）椎間板性腰痛症（注射投与）**

椎間板性腰痛症の患部に NF-κB デコイオリゴ DNA（開発コード AMG0103）を注射投与することによって、慢性腰痛に対する鎮痛効果とともに、椎間板変性に対する進行抑制や修復を促す効果が期待される。新タイプの腰痛治療薬として 2018 年 2 月より米国で後期第 1 相臨床試験（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。

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.

中間報告については 2021 年 2 月に発表されており、その内容としては患者の忍容性が高く、重篤な有害事象も認められず、安全性を確認することができたほか、患者の腰痛の著しい軽減とその効果の持続性が認められ、有効性についても期待以上の効果が確認できたとしている。今後は 12 カ月後までの試験結果も踏まえて、第 2 相臨床試験へ移行する予定となっている。治験責任医師によれば、有効性（痛みの軽減効果及び持続性）について現在、一般療法となっているステロイド系抗炎薬（対処療法）と比較しても、同等以上の効果が得られたとしており、今後の開発の進展が期待される。AMG0103 の開発に成功すれば、慢性椎間板性腰痛症に使用される最初の核酸医薬品になる可能性がある。

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、AMG0103 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。

**(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-κB デコイオリゴと比較して、「STAT6」と「NF-κB」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-κB 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-κB デコイオリゴよりも分子量が 3 ～ 4 割少ないため、生産コストを低く抑えることが可能といった長所も持つ。

同社は具体的な対象疾患として、喘息、慢性関節リウマチ、変形性関節症、クローン病（炎症性腸疾患）などの炎症性疾患を想定している。既に開発が進行中の椎間板性腰痛症については既存の NF-κB デコイオリゴで開発を継続するが、今後の新たな開発プロジェクトについては、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 相 / 前期第 2 相臨床試験の中間報告で安全性及び抗体産生を確認

**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竜一（もりしたりゅういち）教授の研究チームにより基本技術が開発されたもので、血圧の昇圧作用を有する生理活性物質アンジオテンシン II に対する抗体の産生を誘導し、アンジオテンシン II の作用を減弱させることで長期間安定した降圧作用を発揮するワクチンとなる。

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.

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るため、患者 1 人あたりの治療コストは高い。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 相 / 前期第 2 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（プラセボ投与 6 例）の患者への投与を完了した。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、投与後 6 ヶ月間の経過観察期間における中間報告を 2021 年 2 月に発表している。結果としては、重篤な有害事象は無く、安全性に問題がないこと、また、アンジオテンシン II に対する抗体産生が確認できたとしている。今後は安全性、免疫原生及び有効性を評価する試験を継続して行うことにしている。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、有効性等の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、最終報告の内容が注目される。なお、高血圧 DNA ワクチンに関して、2020 年 6 月に日本で、7 月に米国でそれぞれ製剤特許及び用途特許を取得している。

## 海外機関投資家に向けた新株予約権の発行について

同社は、2021 年 3 月 8 日開催の取締役会において、第三者割当による第 41 回新株予約権（行使価額修正条項付）の発行を決議したことを発表した。募集の目的は、完全子会社化した Emendo が安定的に研究開発を進めていくための運営資金の調達と開発パイプラインの拡充による事業基盤の拡大のための資金調達としている。今回発行する本新株予約権の特徴は、同社普通株式を長期保有の意向を有する海外機関投資家に対して売却していく意向を有している点である。これにより、海外の機関投資家による安定的な同社への投資や、グローバル市場、特に米国での同社のプレゼンスが上がること、また、株価への影響も軽減され又は漸次的なものとなり、株価のボラティリティを抑制できることも期待されるとしている。

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.

海外機関投資家に向けた新株予約権の発行について

**募集の概要**

| | |
|---|---|
| 1 割当日 | 2021 年 3 月 24 日 |
| 2 新株予約権の総数 | 200,000 個 |
| 3 発行価額 | 新株予約権 1 個につき 491 円 ( 総額 98,200,000 円 ) |
| 4 当該発行による潜在株式数 | 潜在株式数：20,000,000 株（新株予約権 1 個につき 100 株）<br>上限行使価額はありません。<br>下限行使価額は下記 ( 6 ) 記載のとおりですが、下限行使価額においても、潜在株式数は 20,000,000 株です。 |
| 5 資金調達の額 ( 差引手取概算額 ) | 16,832,200,000 円（差引手取概算額）（注） |
| 6 行使価額及び行使価額の修正条件 | 当初 841 円。<br>行使価額は、2021 年 3 月 25 日以降、毎週火曜日（以下「修正日」といいます。）の直前取引日の株式会社東京証券取引所（以下「東証」といいます。）における当社普通株式の普通取引の終値（同日に終値がない場合は、その直前の終値）の 90%に相当する金額の 1 円未満の端数を切り上げた金額（以下「修正日価額」といいます。）が、当該修正日の直前に有効な行使価額を 1 円以上上回る場合又は下回る場合には、行使価額は、当該修正日以降、当該修正日価額に修正されます。但し、当該修正後の価額が 467 円（以下「下限行使価額」といい、調整されることがあります。）を下回ることとなる場合には、下限行使価額を修正後の行使価額とします。なお、「取引日」とは、東証において売買立会が行われる日をいいます。別段の記載がなされる場合を除き、以下同じです。 |
| 7 募集又は割当方法（割当予定先） | Cantor Fitzgerald & Co. に対する第三者割当方式 |
| 8 その他 | 当社は、割当予定先である Cantor Fitzgerald & Co.（以下「割当予定先」といいます。）との間で、新株予約権の募集に関する金融商品取引法に基づく届出の効力発生をもって締結予定の第三者割当て契約（以下「本第三者割当契約」といいます。）において、以下の内容を合意する予定です。<br>・当社は、割当予定先に本第三者割当契約所定の手続に従い通知を行うことにより、いつでも割当予定先による本新株予約権の行使を停止することができ（但し、割当予定先又はその関係会社が当社普通株式の売却につき既に売却先との間で約定している場合の当該当社普通株式に対応する本新株予約権の行使を除きます。）、また、行使停止の効力の発生後に、当社は、割当予定先に通知を行うことにより、いつでも割当予定先による本新株予約権の行使の再開を許可することができること。<br>・割当予定先は、本新株予約権の行使により交付される当社普通株式を長期保有の意向を有する海外機関投資家に対して売却していく意向を有していること。<br>・本新株予約権を行使することができる期間（以下「行使可能期間」といいます。）の末日において、当社は、残存する本新株予約権を本新株予約権 1 個当たりその発行価額と同額で買い取ること。<br>・割当予定先は、当社取締役会の承認を得ることなく当社以外の第三者（割当予定先の関係会社である Cantor Fitzgerald Europe に対し、当社に事前に書面に通知し割当予定先の合理的な費用負担にて本新株予約権を譲渡する場合を除く。）に対し、本新株予約権を譲渡しないこと。割当予定先は、本新株予約権を譲渡する場合には、割当予定先の本第三者割当契約上の地位及びこれに基づく権利義務も共に譲受人に対し譲渡すること。<br>・割当予定先は、所定の適用除外の場合を除き、いずれの暦月においても、当該暦月において本新株予約権の行使により交付されることになる当社普通株式の数の合計が、上場株式数の 10%を超えることとなる本新株予約権の行使を行わないこと。<br>・割当予定先は、「6．割当予定先の選定理由等 ( 6 ) その他 ⑦本第三者割当契約の解除に伴う本新株予約権の買取り」記載の割当予定先による解除権が発生している場合を除き、本新株予約権の行使により交付された当社普通株式につき当社の事前の書面による承諾を得た場合を除き、取引所金融商品市場で売却することができないこと。<br>・割当予定先は、「6．割当予定先の選定理由等 ( 6 ) その他 ⑦本第三者割当契約の解除に伴う本新株予約権の買取り」記載の一定の事由の発生により割当予定先により本第三者割当契約が解除された場合、当社に対して、その保有する本新株予約権の全部を取得するよう請求することができ、当社は、かかる請求を受けた場合、速やかに本新株予約権を取得すること。<br>・当社は、本新株予約権の発行後 1 か月を経過した日以降、1 か月以上前までに通知を行った上で、当社代表取締役が定める取得日に、新株予約権 1 個当たりその発行価額と同額で、当該取得日に残存する本新株予約権の全部又は一部を取得することができ、かかる取得に際して、割当予定先は、上記通知を受領した日（同日を含みます。）から 1 週間後の日以降、上記通知に係る取得の対象たる本新株予約権の行使を行うことができないこと。詳細については、下記「2．募集の目的及び理由 ( 2 ) 本新株予約権を選択した理由」及び下記「6．割当予定先の選定理由等 ( 6 ) その他」をご参照ください。 |

注：資金調達の額は、本新株予約権の払込金額の総額（98,200,000 円）に本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額（16,820,000,000 円）を合算した金額から、本新株予約権に係る発行諸費用の概算額（86,000,000 円）を差し引いた金額です。なお、本新株予約権の行使に際して出資される財産の価額の合計額は、当初行使価額ですべての本新株予約権が行使されたと仮定した場合の金額でありますが、行使価額が修正又は調整された場合には、調達資金の額は増加又は減少します。また、本新株予約権の行使可能期間内に行使が行われない場合及び当社が取得した本新株予約権を消却した場合には、調達資金の額は減少します。

出所：会社リリースよりフィスコ作成

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.

# 業績動向

## 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費用増により営業損失が拡大

### 1. 2020 年 12 月期の業績概要

2020 年 12 月期の事業収益は前期比 87.8% 減の 39 百万円、営業損失は 5,599 百万円（前期は 3,270 百万円の損失）、経常損失は 6,618 百万円 (同 3,293 百万円の損失)、親会社株主に帰属する当期純損失は 4,209 百万円 (同 3,750 百万円の損失）となった。新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用を中心として研究開発費が増加した。

**2020 年 12 月期連結業績**

（単位：百万円）

| | 19/12 期 | 20/12 期 | | |
|---|---|---|---|---|
| | 実績 | 実績 | 前期比増減率 | 前期比増減額 |
| 事業収益 | 326 | 39 | -87.8% | -286 |
| 売上原価 | 87 | 23 | -73.6% | -64 |
| 研究開発費 | 2,215 | 3,796 | 71.4% | 1,581 |
| 販管費 | 1,294 | 1,820 | 40.6% | 525 |
| 営業利益 | -3,270 | -5,599 | - | -2,329 |
| 経常利益 | -3,293 | -6,618 | - | -3,325 |
| 特別損益 | -458 | 2,413 | - | 2,871 |
| 親会社株主に帰属する当期純利益 | -3,750 | -4,209 | - | -459 |

出所：決算短信よりフィスコ作成

事業収益については、2019 年 6 月に販売を終了したムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム ®」の売上高 170 百万円や研究開発事業収益 152 百万円がなくなったことにより減収となった。2019 年 12 月期第 3 四半期より販売を開始した「コラテジェン ®」の売上高は前期の 4 百万円から 39 百万円に増加した。

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期比 64 百万円減少した一方で、研究開発費が同 1,581 百万円増加の 3,796 百万円となった。主には新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発に係る研究材料費や外注費、研究消耗品費等の増加によるものとなっている。なお、同ワクチンの開発費用については AMED 等からの助成金で賄われることになっているが、プロジェクト契約期間が終了してないことから 2020 年 12 月期の業績に反映されておらず、2021 年 12 月期に営業外もしくは特別利益として計上されることになる。

また、販管費についても前期比 525 百万円増加した。主な増加要因としては、Emendo 買収に伴うアドバイザリー費用の計上（約 650 百万円）により支払手数料が 465 百万円増加したほか、増資に伴い租税公課が 139 百万円増加した。

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.

営業外収支が前期比で 995 百万円悪化したが、これは Emendo にかかる持分法投資損失 909 百万円を計上したことや、株式交付費用が 76 百万円増加したことによる。また、前期は特別損失として投資有価証券評価損 468 百万円を計上したのに対して、2020 年 12 月期は Emendo の株式段階取得に係る差益 2,428 百万円を計上している。

## 2021 年 12 月期も、既存開発パイプラインの進展を最重要課題として取り組んでいく方針

**2. 2021 年 12 月期の業績見通し**

2021 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について、今後の臨床試験の規模や実施方法等の詳細な内容が未確定であり、また、国等からの助成金の公募の有無なども含めて現時点では未確定な要素が多いことから、合理的な業績見通しを算定するのは難しく、現時点では未定としている。

事業方針としては、新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発推進、Emendo のゲノム編集技術を用いた具体的な開発パイプラインのプロジェクト化、HGF 遺伝子治療用製品の国内、米国での臨床試験の推進、腰椎症向け NF-κB デコイオリゴ、並びに高血圧症向け DNA ワクチンの臨床試験推進などに取り組んでいく。

2021 年 12 月期から連結対象子会社となる Emendo の業績については、開発パイプラインの進展状況にもよるが、まだ、開発ステージであることから売上計上は無く、年間で 10 億円以上の営業損失が続くものと弊社では予想している。また、Emendo ののれん 22,713 百万円を今後 10 年間で均等償却する予定で、2,271 百万円ののれん償却額を計上することになる。なお、2020 年 12 月末の連結従業員数は 90 名で、うち Emendo の従業員数は 50 名弱となっている。

## Emendo の子会社化と新型コロナウイルス感染症ワクチン開発のための助成金計上で総資産が大幅増に

**3. 財務状況について**

2020 年 12 月期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 25,830 百万円増加の 38,354 百万円となった。主な増減要因を見ると、流動資産では現金及び預金が 1,496 百万円増加したほか、新型コロナウイルス感染症ワクチン開発費用の前払いにより前渡金が 886 百万円、「コラテジェン ®」の原材料が 576 百万円それぞれ増加した。固定資産では Emendo の子会社化により、有形固定資産が 186 百万円増加したほか、のれんを 22,713 百万円計上している。

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.

負債合計は前期末比 5,205 百万円増加の 5,674 百万円となった。AMED より採択された「新型コロナウイルス感染症に対するワクチン開発」及び厚生労働省より採択された「ワクチン生産体制等緊急整備事業」に関する助成金が入金され、前受金として 3,594 百万円計上ししている。また、Emendo を完全子会社化したことに伴う関連費用として、未払金が 1,128 百万円、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発に伴い、買掛金が 331 百万円それぞれ増加した。

純資産は前期末比 20,624 百万円増加の 32,679 百万円となった。親会社株主に帰属する当期純損失 4,209 百万円の計上があったものの、第三者割当増資や新株予約権の発行及び行使により、資本金が 11,320 百万円増加し、増資及び Emendo を新規連結したことにより、資本剰余金が 13,649 百万円増加したことが主な増減要因となっている。

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同年 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、その後の株価上昇もあって最終的には約 114 億円を調達した。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。なお、同社は今後の成長戦略を的確に実施していくための財務戦略の一環として、2021 年 4 月に資本剰余金を取り崩して前期末の繰越損失金 15,884 百万円を一掃する予定となっている。純資産額そのものは変わらないが、欠損金を一掃して財務体質の健全化を図り、今後の資本政策の機動性及び柔軟性を確保することが狙いとなっている。

**連結貸借対照表**

（単位：百万円）

| | 17/12 期 | 18/12 期 | 19/12 期 | 20/12 期 | 前期末比 |
|---|---|---|---|---|---|
| 流動資産 | 3,433 | 7,542 | 10,992 | 14,166 | 3,174 |
| （現金及び預金） | 1,147 | 5,784 | 10,040 | 11,537 | 1,496 |
| 固定資産 | 530 | 508 | 1,532 | 24,187 | 22,655 |
| （のれん） | - | - | - | 22,713 | 22,713 |
| 総資産 | 3,963 | 8,050 | 12,524 | 38,354 | 25,830 |
| 負債合計 | 341 | 316 | 469 | 5,674 | 5,205 |
| （有利子負債） | - | - | - | - | - |
| 純資産 | 3,621 | 7,734 | 12,055 | 32,679 | 20,624 |
| 経営指標 | | | | | |
| 自己資本比率 | 85.1% | 95.4% | 95.5% | 84.8% | -10.7pt |
| 有利子負債比率 | - | - | - | - | - |

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.

# 今後の成長戦略

## 治療法がない疾病分野や難病・希少疾患などを対象に遺伝子医薬の開発・実用化に取り組み、遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指す

同社は経営理念として、「治療法がない疾病分野や難病・希少疾患などを対象にした革新的な遺伝子医薬の開発・実用化を通じで、人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する」ことを掲げ、長期ビジョンとして「遺伝子医薬のグローバルリーダー」になることを目指している。

黒字化の時期に関しては、開発パイプラインの進捗状況次第となる。特に、米国で HGF 遺伝子治療用製品の開発に成功した場合には、数十億円規模のマイルストーン収益（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。また、今回 Emendo を子会社化したことで中期的に研究開発費の増加が予想される一方で、ゲノム編集技術を用いた開発パイプラインの導出の可能性や、「OMNI™」プラットフォーム技術のライセンスフィーを獲得できる可能性もあり、今後の動向が注目される。

今後の事業展開を進めていくうえでの基本戦略としては、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の 3 点を掲げ、その取り組みを強化していく方針となっている。

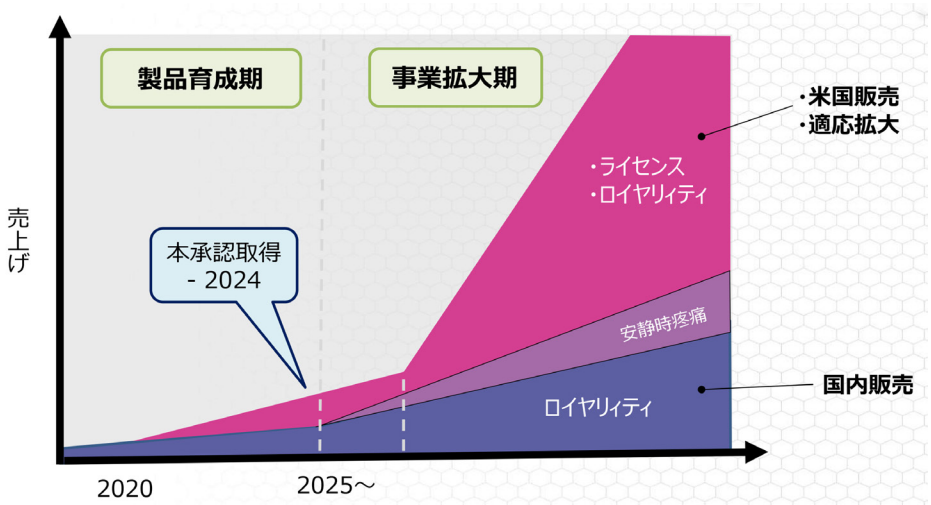
**1.「コラテジェン ®」の事業価値最大化**

「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、薬価の見直しを図りたい考えだ。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に向けた開発を進めていく方針となっている。日米欧以外の国や地域でもイスラエルやトルコに続く新たな導出先を開拓していく。さらには、適応拡大のための基礎試験や臨床研究も今後推進していくことにしている。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され、時期的には 2025 年以降となりそうだ。

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

「コラテジェン ®」の事業拡大




※ 売上げ規模については、その時期の環境によって変動する

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に関する要望用ワクチンや治療薬についても、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ほか、Emendo が開発しているパイプラインについても、今後早期に臨床試験を進めて POC を取得し、早期導出または単独での開発につなげていく方針となっている。

**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向けて、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。

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.

**(1) 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があり、菌を活用して医療やヘルスケアに役立てる研究が行われている。
※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、世界初となる一人ひとり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 加盟国または 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。

**(2) 診断事業（抗がん剤）**

2019 年 8 月に資本出資したイスラエルの 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る。現在は複数の抗がん剤の中から患者に適合する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しているが、第一選択薬で効果が得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た共同開発を開始した。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。現在は実用化に向けて Barcode の診断技術を用いた実証データの収集を行っている段階にあり、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.

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 5-13-3
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