

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 >>>](#)

2022 年 3 月 23 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. 新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬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及び治療薬の開発状況	05
1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況	05
2. 新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」の開発状況	09
■ 主要開発パイプラインの動向	10
1. HGF 遺伝子治療用製品	10
2. NF- κ B デコイオリゴ DNA	13
3. 高血圧 DNA ワクチン	15
4. Emendo のゲノム編集技術	16
■ 業績動向	17
1. 2021 年 12 月期の業績概要	17
2. 2022 年 12 月期の業績見通し	19
3. 財務状況について	19
■ 今後の成長戦略	21

要約

2022 年 12 月期は複数のパイプラインで 新たな開発ステージに進む可能性

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。遺伝子医薬に特化した開発を進めており、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。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入、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。2020 年 12 月に米国で先進ゲノム編集技術の開発を行う EmendBio Inc. (以下、Emendo) を子会社化している。

1. 新型コロナウイルス感染症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（COVID-19）に対する DNA ワクチンの開発については、2021 年 8 月より国内で進めてきた高用量製剤での第 1/2 相臨床試験の接種が同年 11 月に完了し、順調に進めば 2022 年夏頃にも試験結果が判明する見通しとなっている。その内容が良好であれば第 2/3 相臨床試験、第 3 相臨床試験に進むべく PMDA と協議を進めていくことになる。ただ、大規模な臨床試験を行う場合は多額の資金が必要となるため、国による補助金が付くことが前提となる。一方、カナダの Vasomune Therapeutics（以下、Vasomune）と共同開発中の治療薬「AV-001」（中等度から重度の新型コロナウイルス感染症肺炎患者を対象）は、2022 年 1 月より前期第 2 相臨床試験を米国で開始（南米でも行う予定）、2022 年内の後期第 2 相臨床試験入りを目指している。後期第 2 相臨床試験の結果が良ければ、早期承認制度を活用して販売承認申請を行う可能性もある。

2. その他開発パイプラインの動向

慢性動脈閉塞症を対象とした HGF 遺伝子治療用製品「コラテジェン®」の国内における市販後調査※並びに適応拡大のための第 3 相臨床試験は 2021 年末に予定症例数の患者登録が完了した。2023 年にも結果が判明する見通しで、2024 年の本承認取得を目指している。また、米国で実施している後期第 2 相臨床試験も順調に被験者登録が進んでいる。椎間板性腰痛症を適応症とした NF- κ B デコイオリゴ DNA の開発については、大手製薬企業とのライセンス契約も視野に入れながら第 2 相臨床試験の開発計画を策定している状況にあり、米国だけでなく欧州や日本での臨床試験も進めていく可能性が出てきている。オーストラリアで実施している高血圧 DNA ワクチンの開発については、第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験結果で安全性に問題がなく、同ワクチン接種者から抗アンジオテンシン II 抗体が得られたことが確認されており、今後は対象患者のグレードなども考慮に入れた開発戦略を策定していく計画となっている。また、米子会社の Emendo では独自技術である先進的なゲノム編集ツール「OMNI (オムニ) Platform」を用いて、希少遺伝性疾患である ELANE 関連重症先天性好中球減少症（以下、SCN）を対象とした臨床試験の開始に向けた協議を FDA と進めていくほか、複数の企業と「OMNI Platform」のライセンス提供に向けた交渉も進めており、今後の動向が注目される。

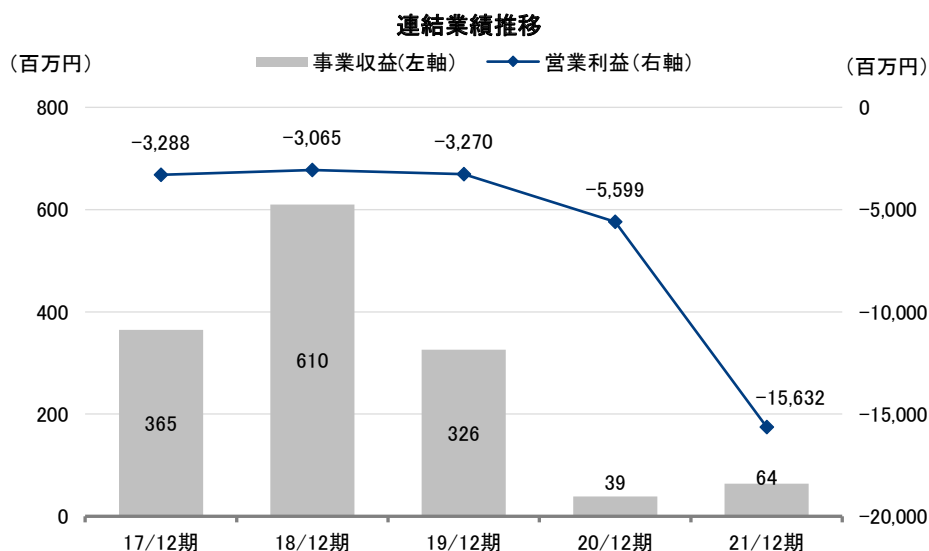
※「標準的な薬物治療の効果が不十分で血行再建術の施行が困難な慢性動脈閉塞症における潰瘍の改善」を効能として、厚生労働省から条件及び期限付製造販売承認を 2019 年 3 月に取得し、同年 9 月より提携先である田辺三菱製薬（株）を通じて販売を開始すると同時に、市販後調査（2021 年末に患者登録を完了）を実施している。同調査の結果を持って本承認の申請を行うことになる。

3. 業績動向

2021 年 12 月期の売上高は前期比 60.4% 増の 64 百万円、営業損失は 15,632 百万円（前期は 5,599 百万円の損失）となった。売上高は「コラテジェン®」の販売高が前期比 5 百万円減の 34 百万円となったものの、新たに開始した希少遺伝性疾患のオプショナルスクリーニング検査の手数料収入で 29 百万円を計上した。営業損失の拡大要因は新型コロナウイルス感染症ワクチンの研究開発費用増加に加えて、Emendo の子会社化に伴うのれん償却額 2,407 百万円の計上や人件費等の増加が要因となっている。なお、新型コロナウイルス感染症ワクチン関連の開発費用については国の補助金等で賄われているが、損益計算書上では研究開発費として計上し、国の監査・認定が下りた段階で営業外に補助金収入として計上し、未認定分については前受金として流動負債に計上している。2021 年 12 月期は営業外収益として 1,399 百万円、前受金として 5,119 百万円を計上しており、2022 年 12 月期以降、前受金が営業外収益に振り替わることになる。2022 年 12 月期の業績見通しは、開発プロジェクトの状況によって研究開発費が変動すること等から現時点では未定としているが、研究開発費については 100 億円程度と前期並みの水準を見込んでいる。なお、2021 年 12 月期末の現金及び預金は約 17,899 百万円となっており、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。

Key Points

- ・新型コロナウイルス感染症予防用ワクチンは第 1/2 相臨床試験の結果が 2022 年夏頃判明する見通し
- ・新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」は前期第 2 相臨床試験を米国で開始
- ・HGF 遺伝子治療用製品の市販後調査並びに日米での臨床試験は順調に進捗
- ・Emendo は ELANE 関連 SCN を対象とした臨床試験入りを目指す



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。

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ているほか、米国にて 2020 年 2 月より後期第 2 相臨床試験を実施している。

その他のパイプラインでは、2018 年より米国で椎間板腰痛症を対象とした核酸医薬品である NF- κ B デコイオリゴ DNA の後期第 1 相臨床試験を開始したほか、同年 4 月よりオーストラリアで高血圧症を対象とした DNA ワクチンの第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験を開始し、いずれも良好な結果が得られたことを発表している。また、2020 年 3 月に新型コロナウイルス感染症の予防 DNA ワクチンについて大阪大学との共同開発を発表し、現在臨床試験を継続している。

アライアンス戦略についても 2018 年以降積極的に展開している。2018 年に共同開発契約を締結していたカナダの Vasomune が、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」の開発を進めているほか、同年に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。また、米国の Brickell Biotech, Inc. と、2020 年 9 月に新型コロナウイルス感染症予防 DNA ワクチンの米国での臨床開発に関する共同開発契約を締結し、同年 12 月には先進のゲノム編集技術を開発する米国の Emendo を買収し、100% 子会社化している。

なお、2021 年 4 月には国内で希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（以下、ACRL）」を設立し、希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査業務を同年 7 月より開始している。

会社概要

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 DNA 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 DNA の後期第 1 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/ 前期第 2 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 EmendoBio 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 Diagnostics 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後期第 2 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 EmendoBio を完全子会社化 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
2021年 4月	国内で希少遺伝性疾患を対象としたスクリーニング検査を行う「アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー」を設立

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」を対象としている。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。

会社概要

同社のビジネスモデルの軸は、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、候補物質の創製および絞り込み
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及び治療薬の開発状況

予防用ワクチンは高用量製剤での第 1/2 相臨床試験の結果が 2022 年夏頃判明する見通し

1. 新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発状況

新型コロナウイルス感染症ワクチンについては、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> など大手製薬企業が開発した製品の国内での承認が相次ぎ、集団接種が進んでいる。2022 年に入って感染力の強いオミクロン株の感染拡大が続いていることから 3 回目の接種が進んでおり、収束の時期が見えない状況が続いている。政府の意向として、国産ワクチンの開発を進めていく方針に変わりなく、同社を含めて複数の企業が国からの補助金を得ながら開発を進めている状況にある。

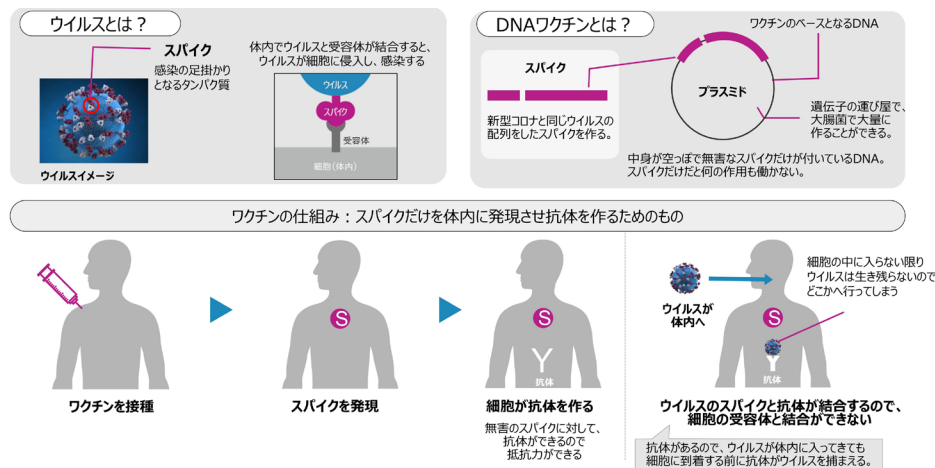
アンジェス | 2022 年 3 月 23 日 (水)
4563 東証マザーズ | <https://www.anges.co.jp/>

新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況

同社は 2020 年 3 月より大阪大学と共同でプラスミド DNA^{※1} 製法を用いたワクチンの開発を進めている。同ワクチンは、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「コラデゲン[®]」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

開発状況については、2021 年 8 月より開始した高用量製剤を用いた第 1/2 相臨床試験において予定症例数 400 症例の接種を 2021 年 11 月に完了している。現在、国際標準に準じたデータ解析を海外の専門機関で行っており、順調に進めば 2022 年夏頃にも試験結果が判明する見通しだ。先行品と同等程度以上の有効性が確認できれば第 2/3 相臨床試験、第 3 相臨床試験へと進むべく PMDA と協議していくことになるが、第 3 相臨床試験では原則 3 千人以上の症例数を確保することが規制当局の考え方となっているため、国の補助金が入ることが臨床試験を進めていくうえでの前提となる。

なお、第 1/2 相臨床試験では、接種方法として筋肉内接種に加えて皮内接種でも実施した。皮内接種は筋肉内接種よりも少ない投与量で同等程度の効果が得られる可能性がある。皮内接種のデバイスはダイセル<4202>が開発する薬剤送達デバイス「アクトランザTM ラボ」を用いている。火薬を駆動力とするため、針を用いることなく薬剤を接種することが可能で、皮内接種で良いデータが得られれば薬剤コストの低減にもつながるため、その結果が注目される。また、現在開発を進めているワクチンは、PMDA のガイドラインにもとづき、当初中国で感染拡大した武漢型（親ワクチン）と呼ばれるものに対応したものとなり、現在感染拡大しているオミクロン株等の変異株については親ワクチン承認後に改めて、臨床試験の必要性の有無等を協議していくこととなる。親ワクチンで同等程度の効果が確認できなければ、変異株対応ワクチンを開発することになるが、プラスミドに導入する遺伝子を変えるだけで済むため比較的短期間での開発は可能と見られる。

アンジェス | 2022 年 3 月 23 日 (水)
4563 東証マザーズ | https://www.anges.co.jp/

新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況

臨床試験の概要

接種方法	筋肉内			皮内	
1 回当たり用量	2mg	4mg	8mg	1mg	1mg
接種間隔と回数	2 週間隔 3 回	4 週間隔 2 回	4 週間隔 2 回	2 週間隔 3 回	4 週間隔 2 回
合計接種量	6mg	8mg	16mg	3mg	2mg
症例数	80	80	80	80	80

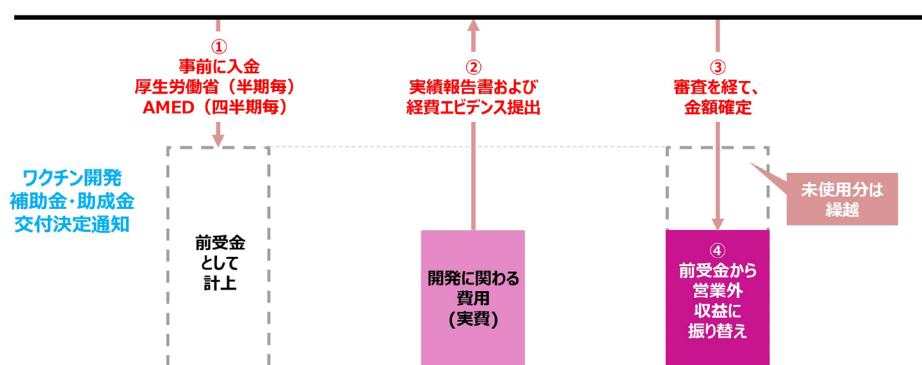
出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

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、国の補助金等で賄われている。具体的には、AMED が 2020 年 5 月に公募した「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（直接経費、研究開発期間：2020 年 6 月－2021 年 3 月）の支援を受けたほか、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> が中心となって大規模生産体制の構築を進めてきた。さらに、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 月に採択されている（金額は非開示）。AMED からの補助金については四半期ごとに入金され、2022 年 1 月に入金が完了している。一方、厚生労働省からは半期ごとで、予定額の入金が完了している。

同社の業績面への影響については、開発に係る費用を研究開発費として計上し、関連費用を補助金収入として営業外収益として計上するため、基本的には支出と収入のバランスが取れ損益面での影響は軽微ということになるが、実際には補助金収入としての認定時期にタイムラグが発生するため、費用が先行する格好となっている。プロセスとしては事前に厚生労働省や AMED から補助金等の入金があり、同社が開発にかかった費用や実績報告書を関係当局に提出、その後監査・承認を経て補助金等の金額が確定（補助金収入として計上）することになる。また、未確定部分の金額については前受金として流動負債に計上している。具体的な数値で見ると、2020 年 12 月期は補助金収入がなく、前受金として 3,594 百万円が計上されており、2021 年 12 月期にその一部が補助金収入に振り替わり 1,399 百万円を計上、前受金については 2021 年に入金された部分も含めて 5,119 百万円となっている。AMED からの残りの補助金が 2022 年 1 月に入金されているため、2022 年 12 月期以降にこれら前受金が補助金収入として営業外収益に計上されることになる。

新型コロナワクチン開発補助金／助成金交付の流れ

厚生労働省/AMED



アンジェス

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（ディスクレマー）をお読みください。

Important disclosures and disclaimers appear at the back of this document.

アンジェス | 2022年3月23日(水)
4563 東証マザーズ | <https://www.anges.co.jp/>

新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況

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、Kaneka Eurogentec S.A.、AGC Biologics S.p.A.、シオノギファーマ（株）、Cytiva 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前述したダイセルの薬剤送達デバイスのほか、様々な研究開発が行われている。変異株に対する効果の高い DNA ワクチンの開発についても、共同開発先の大阪大学で取り組んでいる。

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。
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	ファンベップ	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」又は AJP001 とエビドープ（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あ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ベップと共同で、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

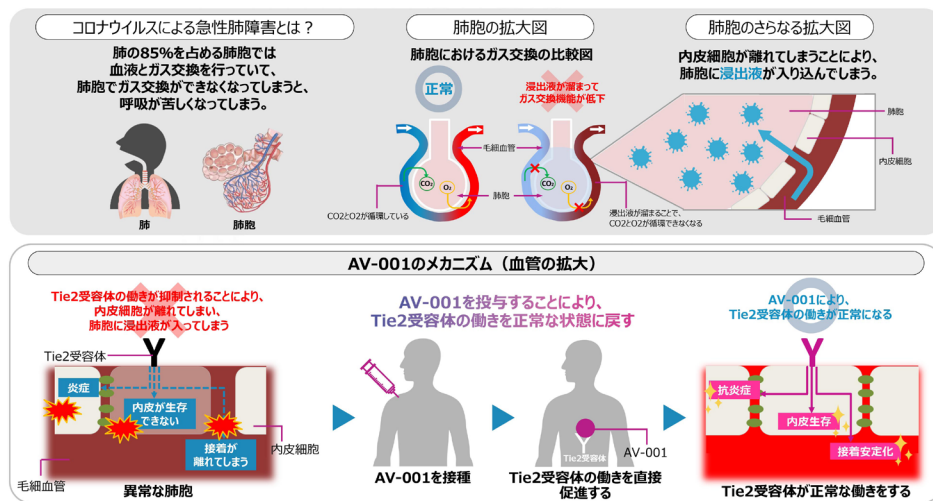
新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」は 前期第 2 相臨床試験を米国で開始

2. 新型コロナウイルス感染症治療薬「AV-001」の開発状況

カナダの Vasomune との共同開発品である「AV-001」（Tie2 受容体アゴニスト化合物）※は、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開発が進められている。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る。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」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。

“新型コロナウイルス”治療薬開発について



出所：決算説明会資料より掲載

開発状況について見ると、2022 年 1 月より米国で前期第 2 相臨床試験が始まっている。試験内容は二重盲検、プラセボ対照試験となり、投与量別にグループ化して安全性と有効性を確認する（観察期間は投与後 1 ヶ月）。目標症例数は約 120 例で、実施施設は 15 施設を予定している。米国のほか南米でも実施する計画となっている。同社では 2022 年内に後期第 2 相臨床試験入りを目標としており、その結果次第では早期承認制度を活用して販売承認申請を行う可能性もある。

新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬の開発状況

なお、「AV-001」の開発にあたっては、米国およびカナダの政府関係機関から Vasomune が助成金を獲得している。米国国防総省からは「医療研究プログラム（Peer Reviewed Medical Research Program：PRMRP）」における Clinical Trial Award として 2020 年 8 月に 280 万米ドルの助成金を受賞したほか、2021 年 11 月に最大 640 万米ドルの助成金を受賞したことを発表している。同資金は前期第 2 相臨床試験に活用していく。また、カナダ政府機関の NRC IRAP（the National Research Council of Canada Industrial Research Assistance Program）からは 2021 年 3 月に 120 万加ドルの助成金を受けたが、2021 年 8 月に 280 万加ドルに増額修正されている。同資金は第 1 相臨床試験およびカナダ保険省への臨床試験申請に必要なその他の試験のために活用することになっている。「AV-001」の開発費の一部は同社も負担しているため、これら助成金の一部を Vasomune から同社も受領しており、2021 年 12 月期は補助金収入として 100 百万円を営業外収益として計上している。

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- κ B 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）	後期第 2 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- κ B デコイオリゴ DNA	海外	-	腰痛症	米国で後期第 1 相臨床試験完了（2018 年 2 月～2021 年）
DNA ワクチン（治療用）	海外	-	高血圧	オーストラリアで第 1/ 前期第 2 相臨床試験完了（2018 年 4 月～2021 年）
DNA ワクチン（予防用）	日本	-	COVID-19	第 2/3 相試験結果分析中（2020 年 12 月～、予定症例数 500 例）第 1/2 相臨床試験中（2021 年 8 月～、予定症例数 400 例）
	米国	-		2020 年 9 月に米 Brickell Biotech 社と共同開発契約を締結
Tie2 受容体 アゴニスト化合物「AV-001」	海外	-	COVID-19 およ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 相臨床試験終了、前期第 2 相臨床試験開始（2022 年 1 月～）

出所：決算説明会資料よりフィスコ作成

HGF 遺伝子治療用製品の市販後調査並びに 日米での臨床試験は順調に進捗

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なか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・壊疽を起こし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 (プラセボ) 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。現在の進捗状況について見ると、2021 年末に実薬 120 症例、プラセボ 80 例の患者登録を完了している。経過観察期間が 1 年間となるため、症例データを収集し評価・分析結果がまとまるのは 2023 年前半となり、結果が良好であれば本申請を行い、2024 年の本承認取得を目指すことになる。なお、市販後調査については目標症例数の登録が完了したものの、引き続きデータ集積のための調査は行っていくことになる。

また、同社は「コラテジェン®」の対象領域を広げるため、2019 年 10 月より実施していた慢性動脈閉塞症の「安静時疼痛の改善」を効能とした第 3 相臨床試験も 2021 年 12 月に目標症例数 40 例の投与が完了したことを発表している。経過観察期間は 1 年間で、順調に進めば市販後調査と同時期に試験結果が判明することになる。同社では「潰瘍の改善」での本承認とあわせて「安静時疼痛の改善」を効能追加することで、「コラテジェン®」の薬価見直しを図りたい考えた。

そのほか、2019 年 2 月にイスラエルの 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、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、「コラテジェン ®」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、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 DNA は、第 2 相臨床試験の計画策定とライセンス契約交渉を同時並行で進行中

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」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 NF- κ B 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、単回 0.3mg、3.0mg あるいは 10mg 投与、25 症例）を実施し、全症例の投与後 12 ヶ月間におけるトップラインデータを 2021 年 4 月に発表した。

発表資料によれば、12 ヶ月間の観察期間を通じて重篤な有害事象は認められず高い安全性が確認されたこと、有効性についても投与早期に腰痛が大幅に軽減し、腰痛の抑制効果も投与 12 ヶ月後まで継続したことが確認されたとしている。また、患者自身からも高い満足度が得られており、良好な結果が得られたものと同社では評価している。

主要開発パイプラインの動向

治験責任医師からも、「AMG0103 は素晴らしい安全性プロファイルを有し、12 ヶ月にわたり腰痛を有意に軽減しており、慢性椎間板性腰痛症に苦しむ患者に対して画期的治療薬となる可能性があると考えています。さらに、腰痛の軽減に加えて、椎間板の高さを回復させる可能性が示唆されたことは注目に値します。」とのコメントを得ている。現在、慢性椎間板性腰痛症に関しては、一般療法としてステロイド注射（対処療法）が使われることが多いが、同治療薬との比較においても同等以上の効果が得られたとしている。ステロイドが一時的な対処療法であるのに対して AMG0103 は炎症を抑制する効果があり、その結果として腰痛の症状が改善することが理由と考えられる。

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く AMG0103 の導入が進む環境は整っている。ただ、価格面を考えると鎮痛効果だけでは既存治療法と差別化が難しいため、椎間板変性に対する進行抑制効果や修復促進効果などが今後の臨床試験で確認できれば開発成功に向けて大きく前進するものと思われる。

現在、FDA と第 2 相臨床試験のプロトコルについて協議を進めている状況にあるが、トップラインデータの発表を受けて国内外の製薬企業からの注目度も高まっており、ライセンス契約等の交渉も同時並行で進めている。第 2 相臨床試験では米国だけでなく欧州や日本での実施も新たな検討項目として上がっているもようで、第 2 相臨床試験の開始前にライセンス契約が決まる可能性も出てきている。なお、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世界初の核酸医薬品となる可能性がある。

(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- κ B デコイオリゴ DNA と比較して、「NF- κ B」と「STAT6」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 DNA よりも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 DNA 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- κ B デコイオリゴ DNA で開発を継続するが、今後の新たな開発は、「キメラデコイ」に移行していくことになる。現在、適応疾患の選定を行っている状況にあり、非臨床試験の開始時期は未定となっている。

高血圧 DNA ワクチンの開発はモディファイすることも含めて戦略を策定中

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（AGMG0201）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。

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））があるものの、毎日服用する必要があるため、長期的に見れば患者 1 人当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、予定症例数 24 例）を開始し、2020 年 3 月にすべて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た。

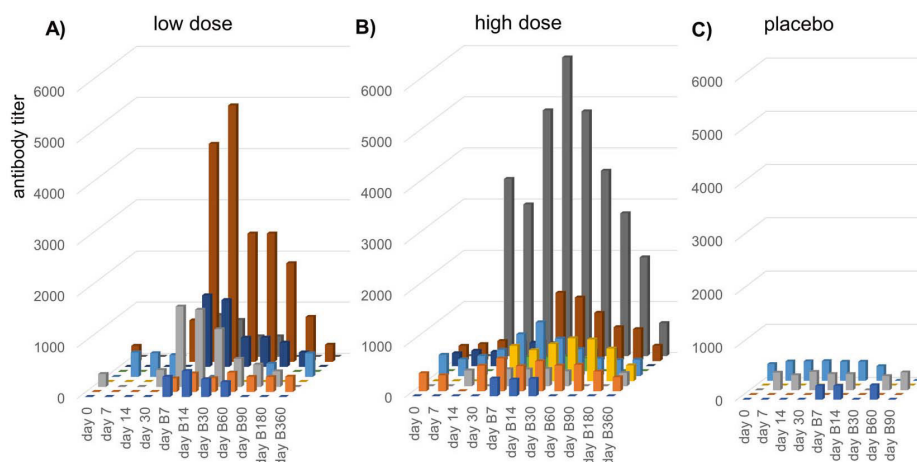
同試験結果については、2021 年 10 月 17 日付で Hypertension Research に論文として掲載されたほか、第 43 回日本高血圧学会総会でも発表している。要旨としては、安全性に問題がなかったこと、また、DNA ワクチンを投与した患者では、特に高用量群で抗アンジオテンシン II 抗体の産生が多く認められたこと、全体として同ワクチンに対する忍容性は良好だったことを挙げている。ただ、抗体価については被験者ごとでバラつきがあり、今後分析する必要があるとしており、血圧降下作用といった有効性についても別の形でデータをまとめていく予定にしている。

同社では、今回の試験で安全性について問題のないことが確認できたことで、データの詳細分析を行いながら今後の開発方針をモディファイする余地がないかどうかも含めて検討し、策定することになっている。例えば高血圧症のなかでも重度のグレードの患者をターゲットにした開発を進めるといったケースが想定される。このため、今後の開発方針次第では再度第 1 相 / 前期第 2 相臨床試験を実施する可能性もある。なお、高血圧 DNA ワクチンに関しては 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。

アンジェス | 2022 年 3 月 23 日 (水)
4563 東証マザーズ | <https://www.anges.co.jp/>

主要開発パイプラインの動向

抗アンジオテンシン II 抗体の抗体価



出所：Brief report on a phase I/IIa study to assess the safety, tolerability, and immune response of AGMG0201 in patients with essential hypertension

Emendo は ELANE 関連 SCN を対象とした臨床試験入りをを目指す

4. Emendo のゲノム編集技術

2020 年 12 月に子会社化した Emendo では、独自開発した先進的なゲノム編集ツール「OMNI Platform」を用いて遺伝子治療薬の開発を進めている。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ことが可能となる。これまでも複数のゲノム編集ツールが開発されており、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命的な技術として評価され、その開発者が 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した技術が「OMNI Platform」となる。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、人体への悪影響を避けるためゲノム編集を高精度に行う必要があり、それが開発のボトルネックにもなっていた。「OMNI Platform」はそのブレイクスルーとなる技術として注目されており、2021 年に開催された学会で同技術を用いた臨床研究の成果を発表したところ、大手製薬企業からバイオベンチャーまで、問い合わせが増えているという。

主要開発パイプラインの動向

Emendo では今後、2つの事業戦略を推進していく計画となっている。第1に、「OMNI Platform」を用いた遺伝子治療薬（技術）の開発推進、第2に「OMNI Platform」のライセンス提供となる。治療薬（技術）の開発では希少遺伝性疾患となる ELANE（好中球エラスターゼ遺伝子）変異による SCN を対象とした開発を進めていくべく、FDA と協議を進めていく予定にしている。SCN とは骨髄における顆粒系細胞の成熟障害により発症する好中球減少症のことで、遺伝子変異により出生後の早期から好中球減少による中耳炎、気道感染症、蜂窩織炎、皮膚感染症を反復、肺炎や敗血症などその他の疾患に至るケースもある。100 万人に 2 人の割合で発症する希少疾患となり、SCN の約 7 割は ELANE 変異によるものとなっている。

現在の治療法は、ST 合剤（抗生剤、スルファメトキサゾール・トリメトプリム）による感染予防が一般的で、感染症がコントロールできない場合には G-CSF ※を使用して好中球の誘導を促すことになる。ただ、G-CSF を高用量で使用した場合、骨髄異形成症候群や急性骨髄性白血病へ移行し、造血幹細胞移植が必要となるケースもある。Emendo では患者から造血幹細胞を取り出し、「OMNI Platform」を用いて正常な機能を有する ELANE を発現させたうえで患者の体内に戻し、好中球の機能を回復させる根治療法の開発を進めていくことになる。先進的な遺伝子改変技術を用いた治療法となるため、臨床試験のプロトコル策定まで時間を要するものと考えられ、臨床試験の開始時期は未定となっている。同社では 2030 年までに開発パイプラインを数本走らせることを目標としている。一方で、「OMNI Platform」のライセンス提供については興味を持つ企業も多いため、非独占的な形で比較的早期にサービス提供が拡大していく可能性もある。

※ G-CSF（顆粒球コロニー刺激因子）：サイトカインの一種で顆粒球産出の促進、好中球の機能を高める作用がある。

業績動向

2021 年 12 月期業績は、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発費用増や Emendo の子会社化で営業損失が拡大

1. 2021 年 12 月期の業績概要

2021 年 12 月期の売上高は前期比 60.4% 増の 64 百万円、営業損失は 15,632 百万円（前期は 5,599 百万円の損失）、経常損失は 13,588 百万円（同 6,618 百万円の損失）、親会社株主に帰属する当期純損失は 13,675 百万円（同 4,209 百万円の損失）となった。

業績動向

2021 年 12 月期連結業績

(単位：百万円)

	20/12 期 実績	21/12 期 実績	前期比 増減率	前期比 増減額	主な変動要因
売上高	39	64	60.4%	24	コラテジェン®34 百万円 (-5 百万円)、 オプションスクリーニング 29 百万円
売上原価	23	56	146.4%	33	コラテジェン® 及びオプションスクリーニングの原価計上
研究開発費	3,796	10,783	184.1%	6,987	コロナワクチン開発費用増、 Emendo の子会社化に伴う主に人件費の増加
販管費	1,820	4,855	166.8%	3,035	のれん償却 2,407 百万円、 Emendo 買収に伴うコンサルティング費用等の増加
営業利益	-5,599	-15,632	-	-10,032	
経常利益	-6,618	-13,588	-	-6,970	補助金収入 1,500 百万円、為替差益 599 百万円 (前期比 +603 百万円)、Emendo 子会社化による持分法投資損失の改 善 (前期比 +909 百万円)
特別損益	2,413	-146	-	-2,559	投資有価証券評価損 179 百万円、 段階取得に係る差益 (前期比 -2,428 百万円)
親会社株主に帰属する 当期純利益	-4,209	-13,675	-	-9,466	

出所：決算短信よりフィスコ作成

売上高については、「コラテジェン®」の販売高が前期比 5 百万円減少の 34 百万円となったものの、2021 年 4 月に開設した ACRL における希少遺伝性疾患のオプションスクリーニング検査の手数料収入 29 百万円を計上したことが増収要因となった。ACRL では同年 7 月より、新生児を対象としたオプションスクリーニング検査を実施している。国内では地方自治体の事業として、特定の遺伝性疾患の検査をすべての新生児に対して無償で実施する「新生児マススクリーニング」が行われているが、対象外の疾患については一般社団法人希少疾患の医療と研究を推進する会（以下、CReARID）が、希望者に有償で「オプションスクリーニング」を実施している。同社は遺伝性疾患を対象とした治療薬の開発を進めていることもあり、検査サービスも合わせて行うことが事業基盤の強化につながると考え、CReARID と連携して同事業を進めていくこととした。将来的にはポンペ病やムコ多糖症などマススクリーニングの対象外となっている疾患の治療薬開発を検討していく意向となっている。なお、売上原価も同事業に関連した費用の計上が増加要因となっている。

研究開発費は 10,783 百万円と前期比で 6,987 百万円増加したが、増加要因の大半は新型コロナウイルス感染症ワクチンの臨床試験及び非臨床試験にかかる費用増となっている。項目別では、研究用材料費で 1,791 百万円、外注費で 3,227 百万円それぞれ増加した。また、主に Emendo の子会社化に伴い、開発人員の給料手当が 556 百万円増加した。Emendo では開発体制の強化を目的に、人員を前期末の 53 名から 90 名弱に増員した。

販管費は 4,855 百万円と前期比で 3,035 百万円増加した。Emendo の子会社化に伴ってのれん償却費 2,407 百万円（10 年間で額償却）を計上したほか Emendo の販管費が加わったことに伴い役員報酬が 133 百万円、地代家賃が 106 百万円、コンサルティング費用等の支払手数料が 119 百万円それぞれ増加した。また、営業外収支が前期比で 3,062 百万円改善したが、このうち 1,500 百万円は新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬に係る補助金収入の計上によるものとなっている。そのほか期末にかけての円安進展に伴う外貨の資産評価替えにより、為替差損益が 603 百万円改善したほか、前期に計上していた持分法投資損失 909 百万円が Emendo の子会社化に伴ってなくなったことが改善要因となった。また、特別損失として投資有価証券評価損を 179 百万円計上した。前期は Emendo 株の段階取得に係る差益 2,428 百万円を特別利益として計上していた。

2022 年 12 月期も 100 億円規模の研究開発費を投下し、 開発パイプラインの進展に取り組む方針

2. 2022 年 12 月期の業績見通し

2022 年 12 月期の業績見通しは、新型コロナウイルス感染症ワクチンや HGF 遺伝子治療用製品等の臨床試験の進捗によって、研究開発費が大きく変わってくること、並びに開発品の海外導出の可能性や営業外収益に計上見込みの新型コロナウイルス感染症ワクチン開発に係る補助金収入の認定時期が一部、2023 年 12 月期に持ち越される可能性があることなど、未確定な要素が多いことから現時点では未定とし、合理的な算出が可能となり次第速やかに開示するとしている。

経営の指針として「新たな展開を考え、ますます発展、進化していく端緒となる年」にすることを目指し、新型コロナウイルス感染症ワクチン及び治療薬を筆頭に、既存パイプラインの開発推進に取り組んでいく方針だ。また、子会社の Emendo でも ELANE 関連 SCN を対象とした臨床試験開始に向けた取り組みを進めていく。売上高は「コラテジェン®」や「オプショナルスクリーニング」などの継続的な収入が見込めるものの、ライセンス契約締結による一時金収入等がなければ、ほぼ前期並みの水準となることが予想される。

一方、費用面でも現段階では研究開発費で約 100 億円と前期並みの水準を見込んでいることから、営業損失は前期並みの水準が続くものと想定される。経常損失については新型コロナウイルス感染症ワクチンに係る補助金収入が変動要因となる。既述のとおり、前期末の厚生労働省及び AMED の前受金が 5,119 百万円となっており、これに AMED の第 2 次公募となる「新型コロナウイルス感染症（COVID-19）に対するワクチン開発」に係る最終回分の助成金（2022 年 1 月に受領）が、当局の監査・認定が下り次第、補助金収入として営業外に計上されることになる。認定時期によって 2023 年度に一部ずれ込む可能性もあるが、それでも 2021 年 12 月期と比較すれば増加する見通しで、経常損失は前期比で縮小する算算が大きいと弊社では見ている。

手元キャッシュは 170 億円超と潤沢で当面の事業活動資金は確保

3. 財務状況について

2021 年 12 月期末の財務状況を見ると、総資産は前期末比 7,101 百万円増加の 45,455 百万円となった。流動資産では、新株予約権の発行及び行使によって調達した 17,474 百万円の一部を事業費用として充当したものの、現金及び預金が 6,362 百万円増加の 17,899 百万円と増加した。また、新型コロナウイルス感染症ワクチンの製造費用等を前払したことにより前渡金が 653 百万円増加した。固定資産ではのれんが 38 百万円減少の 22,675 百万円となった。のれん償却費 2,407 百万円を計上したが、円安に伴う為替換算等で 2,369 百万円の増加要因となっている。また、Barcode Diagnostics の投資有価証券評価損を計上したこと等により投資有価証券が 196 百万円減少した。

業績動向

負債は前期末比 1,146 百万円増加の 6,821 百万円となった。未払金が 594 百万円減少した一方で、新型コロナウイルス感染症ワクチンの開発プロジェクトにかかる AMED や厚生労働省からの助成金が入金され、前受金が 1,525 百万円増加の 5,119 百万円となった。

純資産は前期末比 5,955 百万円増加の 38,634 百万円となった。親会社株主に帰属する当期純損失 13,675 百万円の計上があったものの、新株予約権の行使により資本金及び資本剰余金をそれぞれ 8,747 百万円計上したほか、のれんにかかる為替換算等により為替換算調整勘定が 2,150 百万円増加した。

2021 年 12 月期末の現金及び預金は 17,899 百万円となっており、2022 年 12 月期の事業活動資金については確保されているものと考えられる。2023 年 12 月期以降は各開発パイプラインの進捗や導出状況等によるが、必要であれば新たな資金調達を検討していくものと見られる。

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	18/12 期	19/12 期	20/12 期	21/12 期	前期末比
流動資産	7,542	10,992	14,166	21,426	7,259
（現金及び預金）	5,784	10,040	11,537	17,899	6,362
固定資産	508	1,532	24,187	24,029	-158
（のれん）	-	-	22,713	22,675	-38
総資産	8,050	12,524	38,354	45,455	7,101
負債	316	469	5,674	6,821	1,146
（前受金）	-	-	3,594	5,119	1,525
（有利子負債）	-	-	-	-	-
純資産	7,734	12,055	32,679	38,634	5,955
経営指標					
自己資本比率	95.4%	95.5%	84.8%	84.8%	-
有利子負債比率	-	-	-	-	-

出所：決算短信よりフィスコ作成

キャッシュ・フローの状況

	18/12 期	19/12 期	20/12 期	21/12 期
営業キャッシュ・フロー	-2,522	-2,179	-2,961	-11,380
投資キャッシュ・フロー	-122	-1,249	-6,963	-154
財務キャッシュ・フロー	7,283	7,676	11,403	17,378
（株式発行収入※）	7,218	7,676	11,331	17,280
現金・現金同等物期末残高	5,784	10,040	11,537	17,835

※新株予約権行使に伴う株式発行収入

出所：決算短信よりフィスコ作成

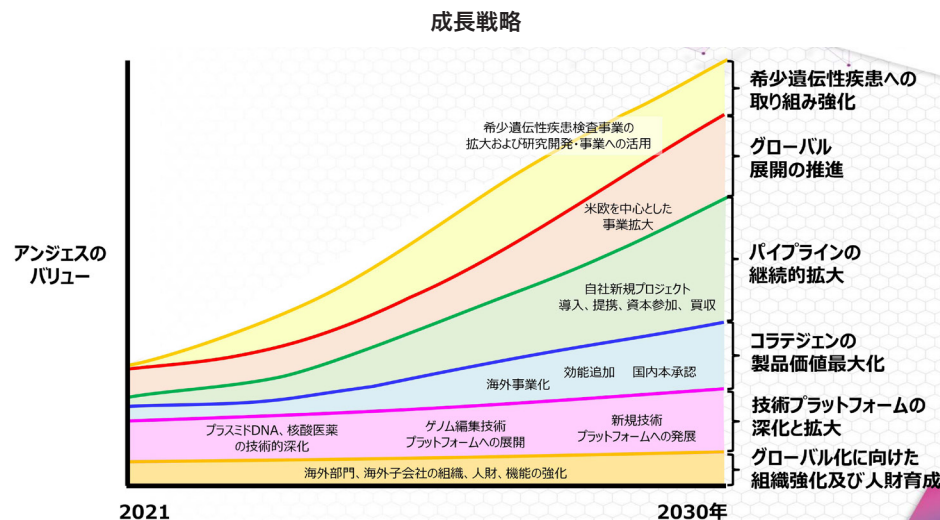
■ 今後の成長戦略

治療法がない疾病分野や希少遺伝性疾患等を対象に開発を進め、 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・実用化を通じて、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入（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、椎間板性腰痛症を対象とした NF- κ B デコイオリゴ DNA についても臨床試験の良好な結果を受け、ライセンス契約の可能性が出てきている。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が、Emendo が開発を進めるパイプライン導出の可能性や、先進的なゲノム編集ツール「OMNI Platform」のライセンスフィーを獲得できる可能性も出てきている。

今後の成長戦略としては、グローバル化に向けた組織強化や人財育成、並びに技術プラットフォームの深化と拡大に取り組みながら、1) 「コラテジェン®」の製品価値最大化、2) パイプラインの継続的拡大、3) グローバル展開の推進、4) 希少遺伝性疾患への取り組み強化などに注力し、企業価値の向上を目指していく方針だ。



出所：決算説明会資料より掲載

重要事項（ディスクレマー）

株式会社フィスコ（以下「フィスコ」という）は株価情報および指数情報の利用について東京証券取引所・大阪取引所・日本経済新聞社の承諾のもと提供しています。

本レポートは、あくまで情報提供を目的としたものであり、投資その他の行為および行動を勧誘するものではありません。

本レポートはフィスコが信頼できると判断した情報をもとにフィスコが作成・表示したのですが、フィスコは本レポートの内容および当該情報の正確性、完全性、的確性、信頼性等について、いかなる保証をするものではありません。

本レポート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