Aspiration
Network
Genesis
Ethics
Speed

AnGes

アンジェス株式会社

はじめに

アンジェスは、遺伝子医薬技術を活用し、革新的な医薬品開発に取り組むバイオ製薬企業です。遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指し、遺伝子の働きを利用した新しいタイプのバイオ医薬品である遺伝子医薬の開発を行っています。

当社は大阪大学の基礎研究を基に 1999 年の設立以降、肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor:HGF）の医薬品への応用に向けた研究と開発を進めてまいりました。HGF が持つ「血管を新生する」能力を活用し、足の血流が極度に悪化する慢性動脈閉塞症を対象とした HGF 遺伝子治療用製品の開発を進めています。このほか、アカデミアとの共同研究をとおした医薬品の開発や、バイオベンチャーとの協業による医薬品開発など、これまで製品化されていない新しい作用機序による医薬品の開発を手掛けています。

また当社は、国内で承認されていない希少疾患治療薬の導入も進めており、これまでムコ多糖症VI型治療薬や早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー治療薬の導入実績があります。

一方、2021 年 4 月に開設したアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）は、希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所で、現在、拡大新生児スクリーニングを受託しており、新生児の遺伝性疾患の早期発見、治療をサポートしています。

世界では、新たな医薬品、治療方法等が次々に開発され、現在研究開発の最先端を走るのは、ゲノム編集という技術です。当社は、2020 年に EmendoBio 社を子会社化して、ゲノム編集の開発にも参入しました。

当社は、遺伝子医薬の開発、ゲノム編集の開発を推進し、希少遺伝性疾患の早期発見、治療に貢献することをとおし、治療薬を待ち望んでおられる患者さんやそのご家族をはじめ、新たな治療法を待ち望んでいる社会の期待に応えるべく日々努めてまいります。

経営理念

Vision

アンジェス株式会社は
遺伝子医薬のグローバルリーダーを
目指します

企業理念

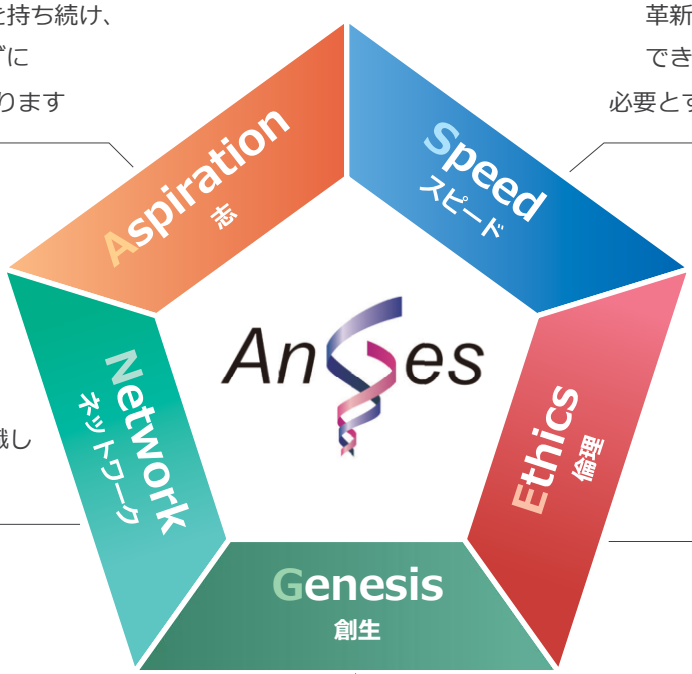
生命が長い時間をかけて獲得した遺伝子の力を借りて画期的な遺伝子医薬を開発・実用化し、
人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献します

行動指針

理念の達成を目指し、社名のA-N-G-E-Sをキーワードにした指針に則って行動します

挑戦する精神と熱意を持ち続け、
変化を恐れずに
自ら変革者となります

革新的な遺伝子医薬品を
できるだけ早く実現し、
必要とする患者さんに届けます



患者さん、医療関係者、
株主・投資家、提携企業、
社員、地域社会といった
ネットワークの重要性を認識し
大切にします

最高の倫理観をもって
業務に臨みます

常に最先端の研究成果と考え方を取り入れ、
新しい技術と製品、価値の創生を目指します

開発パイプライン

2024年６月現在

■ 開発品

プロジェクト	開発コード 剤形	対象疾患	地域	開発ステージ・備考
HGF遺伝子治療用製品 製品名：コラテジェン	AMG0001 注射剤	閉塞性動脈硬化症	日本	新たな承認申請に向けて準備中
			米国	第Ⅱ相臨床試験完了
NF-κBデコイオリゴ	AMG0103 注射剤	椎間板性腰痛症	日本	第Ⅱ相臨床試験実施中
高血圧DNAワクチン	AMG0201 注射剤	高血圧症	豪州	第Ⅰ相/前期第Ⅱ相臨床試験完了
経鼻投与DNAワクチン	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症など	米国	スタンフォード大学と共同研究

■ 共同開発品

プロジェクト	開発コード 剤形	対象疾患	地域	開発ステージ・備考
Tie２受容体アゴニスト	AV-001 注射剤	ウイルス性肺炎及び 細菌性肺炎急性 呼吸窮迫症候群 （ARDS）	米国	前期第Ⅱ相臨床試験実施中 Vasomune Therapeutics （Canada）

販売中の製品

2024年６月現在

■ 導入品

製品名	剤形	対象疾患	地域	備考
ゾキンヴィ	カプセル剤	早老症 (HGPS・PDPL)	日本	2024年5月発売 導入元 Sentynl Therapeutics (米)

グループ会社 / 提携状況

2024年６月現 在

■ グループ会社

会社名	内容
EmendoBio Inc. (U.S.)	ゲノム編集技術の開発
AnGes USA, Inc. (U.S.)	米国における遺伝子医薬品開発

■ 戦略的提携

会社名	内容
MyBiotics Pharma (Israel)	マイクロバイオーム-常在菌の培養、製剤化

医薬品開発

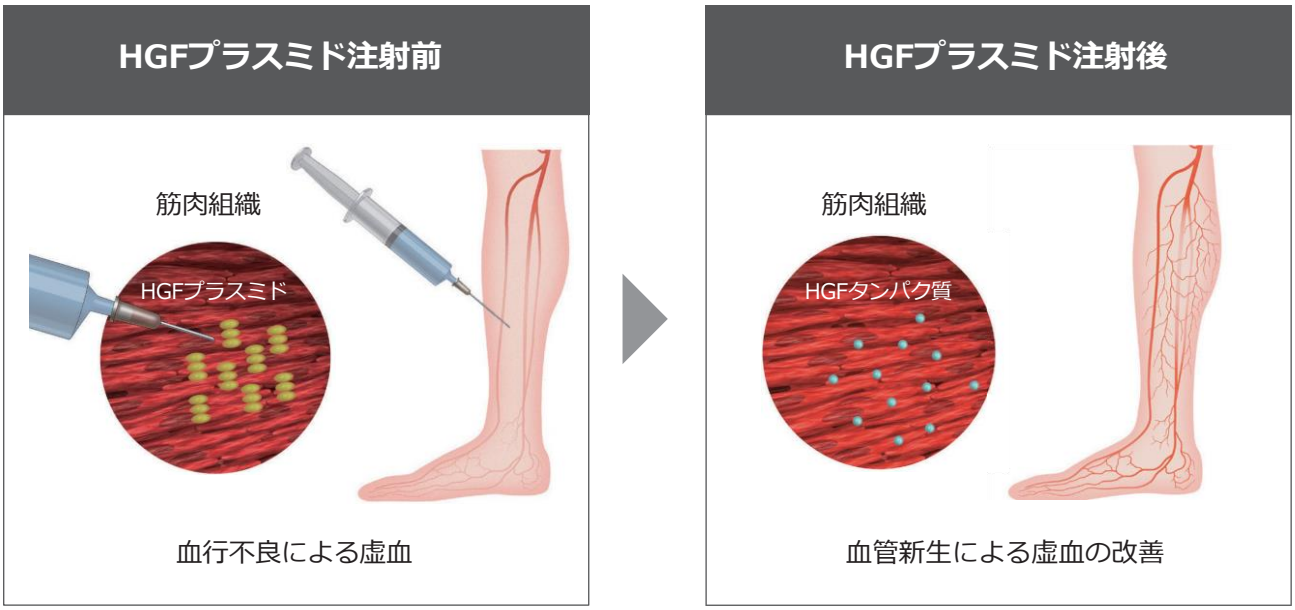
プロジェクト

HGF遺伝子治療用製品

慢性動脈閉塞症を対象とした遺伝子治療用製品

肝細胞増殖因子HGFは、肝臓の細胞を増やす因子として1984年に日本で発見されました。最初は、肝臓の病気の治療薬として研究されていましたが、1995年に大阪大学の森下竜一教授らの研究チームによりHGFに血管を新生する能力があることが発見されました。HGF遺伝子治療用製品は、血管が詰まり血流が悪くなっている虚血性疾患に対し「血管を新生する」というこれまでにない作用により治療を行います。
血管が詰まる疾患としては、例えば、糖尿病などによる動脈硬化に伴い足の動脈が閉塞し、血液がうまく届かず壊死して最終的には足を切断しなければならなくなる慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症やバージャー病）等があります。これらの疾患に対する現在の治療法として、重症例に対しては薬物療法に加えてバルーンカテーテルによる血管内治療（カテーテルにより血管を通して動脈の再疎通を行う治療法）や外科的なバイパス手術が主流ですが、薬物療法が効かず、カテーテルや手術の適用が困難な患者さんについては有効な治療手段がありません。
HGF遺伝子治療用製品は、このような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、効果又は性能とした国内初の遺伝子治療用製品となります。

HGF遺伝子治療用製品による血管新生（慢性動脈閉塞症）



医薬品開発

プロジェクト

NF-κBデコイオリゴ

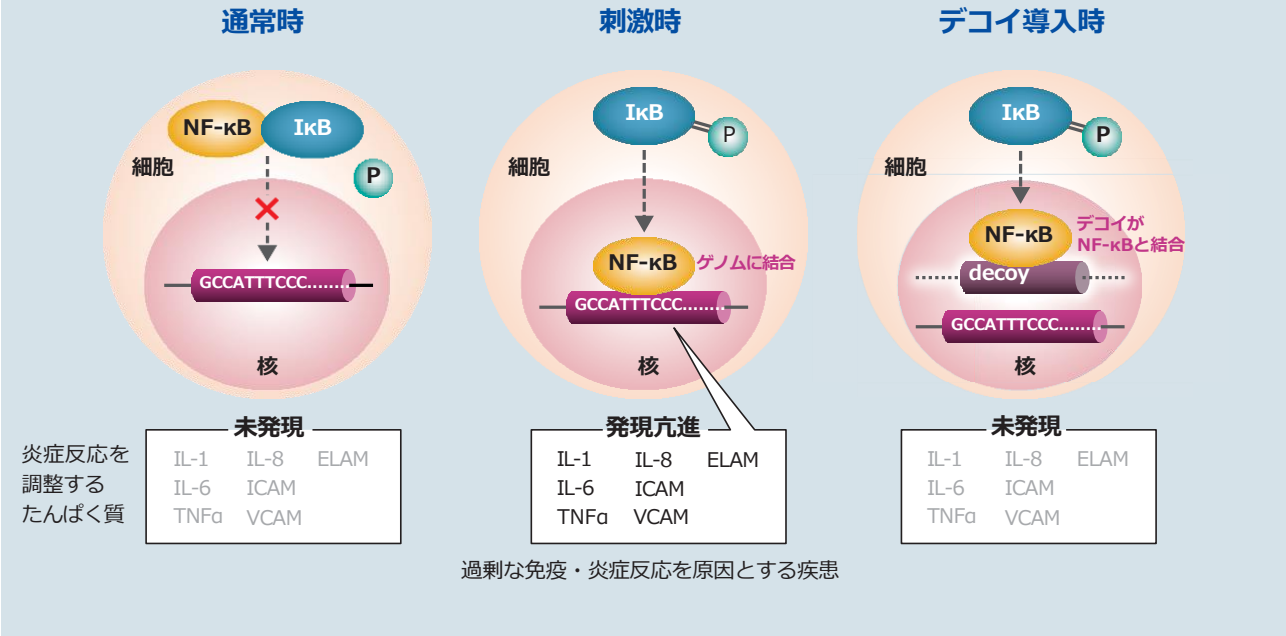
遺伝子をターゲットにした医薬品にはHGF遺伝子治療用製品のように遺伝子そのものを利用するもの以外にも、人工的に作成される比較的短い核酸により遺伝子の働きを制御するものもあります。このタイプの医薬品は、核酸医薬と呼ばれ、デコイオリゴ核酸、アンチセンス、siRNAやアプタマーなどが知られています。

当社が開発しているNF-κBデコイオリゴ核酸は、この核酸医薬の一種です。遺伝子の働きによりたんぱく質が発現する際、転写因子と呼ばれるたんぱく質がゲノムの特定の配列領域に結合してスイッチが入りますが、デコイオリゴ核酸は、そのゲノム上の転写因子結合部分と同じ配列を含む短い核酸（DNA）を人工的に合成したものです。デコイとは元来「おとり」を意味する言葉で、デコイオリゴ核酸は細胞内においてゲノムの「おとり」として特定の転写因子と結合するため、その転写因子がゲノムに結合できず、結果として特定のたんぱく質の発現が抑制されます。

当社では、生体内で免疫・炎症反応を担う遺伝子群のスイッチ『転写因子NF-κB』に対する特異的な阻害剤『NF-κBデコイオリゴ』を設計し、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新しい治療薬として研究開発を進めています。

現在国内において、第Ⅱ相臨床試験を実施しています。

NF-κBデコイオリゴの作用原理



医薬品開発

プロジェクト

DNAワクチン

高血圧DNAワクチン

高血圧DNAワクチンはアンジオテンシンIIを標的としたもので、長期間安定した降圧作用を発揮することから、血圧の過度な日内変動の抑制や毎日の服用が難しい患者への適応など、既存の高血圧治療薬にはない特長を持つことが期待されます。

経鼻投与DNAワクチン

当社は新型コロナウイルス感染症を予防するため、2020年3月から2022年９月まで大阪大学と共にプラスミドDNA技術を使用したDNAワクチンの開発を行ってまいりました。その知見をふまえ、米国スタンフォード大学と経鼻投与製剤によるDNAワクチンの共同研究を行っています。

共同開発製品

Tie2受容体アゴニスト

カナダのバイオ医薬企業Vasomune Therapeutics, Inc.とARDSの治療薬Tie2受容体アゴニスト（AV-001）を共同開発しています。
AV-001は、チロシンキナーゼ受容体であるTie2を活性化し、血管漏出に対するバリア防御を促進することで、細菌やウイルスの感染により血管の反応が抑制されなくなり、肺機能の障害、重要な臓器の浮腫が発生することを防ぎます。
現在米国などにおいて、第Ⅱ相臨床試験を実施しています。

導入品事業

当社は、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医薬品の開発を通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、そのためにも国際的に通用する革新的な医薬品を少しでも早く患者様にお届けすることを目指しています。
その一例として、2007年に希少遺伝性疾患であるムコ多糖症VI型の日本国内における治療薬の開発、販売権を取得し、2008年に製造販売承認を取得し、2019年まで販売していました。
また、2022年には、早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群並びにプロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチーの治療薬の日本国内における販売権を取得し、2024年から販売しています。
当社は、これまでの経験を活かし、今後も日本では販売されていない主に希少疾患の治療薬を販売できるように取り組むことで、日本のドラッグロス、ドラッグラグの解消に貢献していきます。

ゾキンヴィ

Sentynl Therapeutics Inc.が米国並びに欧州で販売しているいわゆる早老症であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）並びにプロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー（PDPL）の治療薬であるゾキンヴィの日本での独占販売権を2022年に取得しました（当時の契約はEiger BioPharmaceuticals Inc.でしたが、のちにSentynl社に事業譲渡）。ゾキンヴィは、2023年３月に希少疾病医薬品に指定され、当社は2023年５月に日本における製造販売承認を申請し、2024年1月に製造販売承認を取得しました。2024年５月から販売を開始しています。

検査受託サービス

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）は、希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所で、2021年4月に開設しました。
当社は創業以来、難病や希少疾患に対する医薬品の研究開発に取り組んでいます。
希少遺伝性疾患も治療が可能なものが増えていますが、治療が可能であっても、症状が出る前に治療を始めないと、望ましい治療効果が得られない疾患があります。
また、特徴的な症状が少なく、通常の診断では発見が難しい疾患もあります。
希少遺伝性疾患の治療は、発症早期、望ましくは発症前から開始することが重要です。
当社はACRL開設以来「一般社団法人　希少疾患の医療と研究を推進する会（CReARID）」が提供する拡大新生児スクリーニング検査「オプショナルスクリーニング」の検査業務を受託しており、2024年8月からは自治体単位で直接拡大新生児スクリーニング検査を受託しています。
また、2024年5月のゾキンヴィ発売に合わせて、その対象疾患であるハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）並びにプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー（PDPL）の確定検査として、「遺伝学的検査」の体制を構築し、受託を開始しました。
今後は、「スクリーニング検査」に加え、「精密検査・遺伝学的検査」「バイオマーカー検査」などにも取り組み、希少遺伝性疾患のスクリーニングから診断、治療に至るまでの包括的な検査体制の提供を目指してまいります。

希少遺伝性疾患検査

スクリーニング検査

新生児に
遺伝性疾患の可能性があるかを
検査

精密検査・遺伝学的検査

スクリーニング検査で疾患の
可能性があると判断された場合、
疾患の有無を確定させる

バイオマーカー検査

治療開始後、
治療効果・改善状況を判断
するためのデータを提供

新生児マススクリーニング

- **日本出生の全新生児に公費負担で実施**
- **先天性代謝異常症**（フェニルケトン尿症など）や
  内分泌疾患（先天性甲状腺機能低下症など）

拡大新生児スクリーニング

- **希望者に有償で実施**
- **マススクリーニング対象外の疾患**
  （SMA・SCID・ポンペ病・ムコ多糖症等）

検査受託サービス

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

ACRLの特長

01 拡大新生児スクリーニング検査において、国内最多の対象疾患数（9疾患）

検査項目は、下記の９疾患です。

ライソゾーム病（ムコ多糖症Ⅰ型／Ⅱ型／ⅣA型／Ⅵ型、ファブリー病、ポンペ病）・副腎白質ジストロフィー・脊髄性筋萎縮症・重症複合免疫不全症

これらの疾患は、症状が出る前に早く見つけて、適切な時期に治療を開始しないと十分な治療効果が得られません。

また、これらの疾患は稀な病気なので、日常的な診療で見つけることが難しいものが多く、見つけた時には症状が進行してしまっている場合もあります。

医療先進国である米国では、新生児スクリーニングの適応疾患の推奨・優先度を決めるシステムとして、Recommended Uniform Screening Panel（RUSP）があり、この9疾患の中にも検査すべき疾患が多く含まれています。

疾　　患	スクリーニング検査法	治療法
ムコ多糖症（MPS）　Ⅰ 型	濾紙血酵素活性	酵素補充、造血幹細胞移植
ムコ多糖症（MPS）　Ⅱ 型	濾紙血酵素活性	酵素補充（脳内到達型製剤）、 造血幹細胞移植
ムコ多糖症（MPS）　ⅣA型	濾紙血酵素活性	酵素補充
ムコ多糖症（MPS）　Ⅵ 型	濾紙血酵素活性	酵素補充
ファブリー病	濾紙血酵素活性	酵素補充、化学シャペロン
ポンペ病	濾紙血酵素活性	酵素補充（乳児型では生後可及的早期に）
副腎白質ｼﾞｽﾄﾛﾌｨｰ（ALD）	C26： 0-lyso-ﾎｽﾌｧﾁｼﾞﾙｺﾘﾝ	大脳型：造血幹細胞移植（発症後直ちに）
脊髄性筋萎縮症（SMA）	SMN１遺伝子定量PCR	アンチセンス核酸薬、 遺伝子治療（乳児型では生後可及的早期）
重症複合免疫不全症（SCID）	TREC定量PCR	造血幹細胞移植（感染前に）

上記9疾患以外に、ムコ多糖症Ⅶ型、ゴーシェ病、ニーマンピック病A/B型、クラッベ病、B細胞欠損症、アデノシンデアミナーゼ欠損症など新規疾患のスクリーニング受託に向け、開発に取り組んでいます。

検査受託サービス

ACRLの特長

02 ご要望やニーズに沿った検査パッケージ提案など、柔軟な契約形態が可能

検査項目を特定のパッケージで受託する機関もありますが、ACRLでは、ご要望に応じて、臨機応変な対応が可能です。

・９つの疾患全てのスクリーニング検査の受託をする（自治体①）
・一部の疾患の検査のみを受託する（自治体②③）

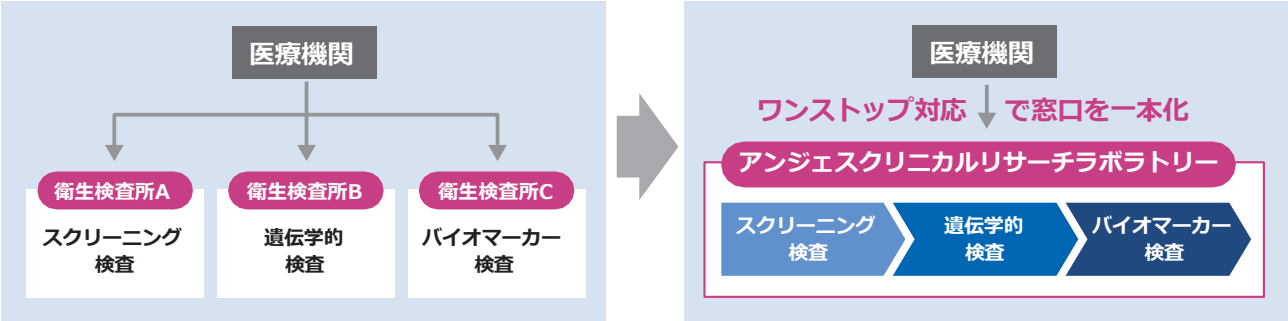
	自治体①	自治体②	自治体③
検査疾患数	9	7	4
ムコ多糖症Ⅰ型	ACRL	ACRL	ACRL
ムコ多糖症Ⅱ型	ACRL	ACRL	ACRL
ムコ多糖症Ⅳ A型	ACRL	ACRL	ACRL
ムコ多糖症Ⅵ型	ACRL	ACRL	ACRL
ファブリー病	ACRL	ACRL	–
ポンペ病	ACRL	ACRL	–
副腎白質ジストロフィー（ALD）	ACRL	ACRL	–
脊髄性筋萎縮症（SMA）	ACRL	検査所A	検査所B
重症複合免疫不全症（SCID）	ACRL	検査所A	検査所B

※ACRLが自治体の要望に合わせて検査を受託できるイメージ

ACRLの特長

03 国内で唯一、希少遺伝性疾患検査におけるワンストップ対応が可能

事業収益性が見込めない等により、希少遺伝性疾患検査の全てを一つの検査機関で実施しているところが少ない中、ACRL では、医師や自治体の皆さまが、複数の検査機関に依頼しなくても、「スクリーニング検査」や「遺伝学的検査」、「バイオマーカー検査」と希少遺伝性疾患検査に必要な体制・機能を備えており、自治体や医療機関の皆様からの窓口を一本化することが可能です。



ゲノム編集技術のプラットフォームと遺伝子治療用製品開発

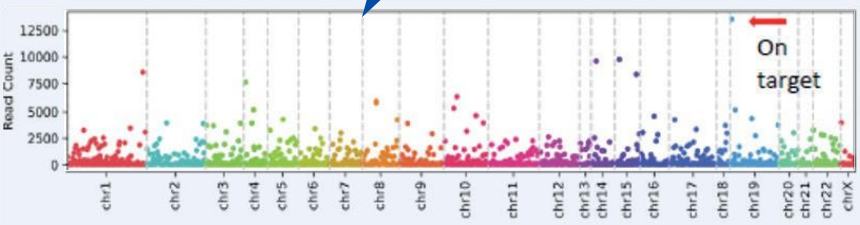
当社は、2020年に米国のEmendoBio Inc.を子会社化し、ゲノム編集による遺伝子治療の開発に参入しました。
ゲノム編集とは、特定の塩基配列のみを切断し、遺伝子を改変する技術です。ゲノム編集を医療で利用するには、狙った塩基配列以外の場所を誤って切断してしまうオフターゲット効果を防止することが重要となります。
EmendoBio社は、ゲノム編集の安全な医療応用を目指し、新規CRISPRヌクレアーゼを探索・最適化するプラットフォーム技術（OMNI　Platform）の開発及び新たな特徴をもった新規ヌクレアーゼ（OMNI ヌクレアーゼ）の開発に取り組んでいます。OMNI ヌクレアーゼを最適化することで、オフターゲット効果の発生を抑制し、制度の高いゲノム編集が可能となります。

CRISPR/Cas9

オンターゲットサイト以外にも、
かなりの数の**オフターゲット**サイトが
かなり**頻度高く**見られる

SpCas9

データの色のついている点は、
切断した箇所の数

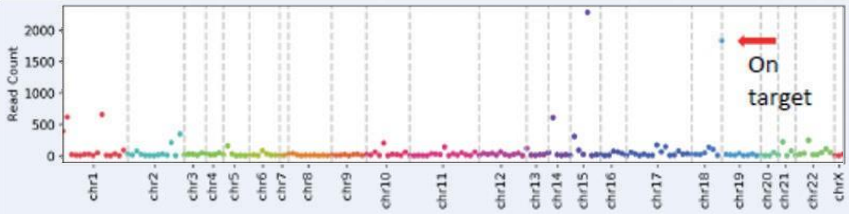


EmendoBio社のゲノム編集技術

野生型のOMNI-A1

オフターゲットサイトはかなり少ないが、
オンターゲット以外の切断点も散見される

WT-OMNI　A1

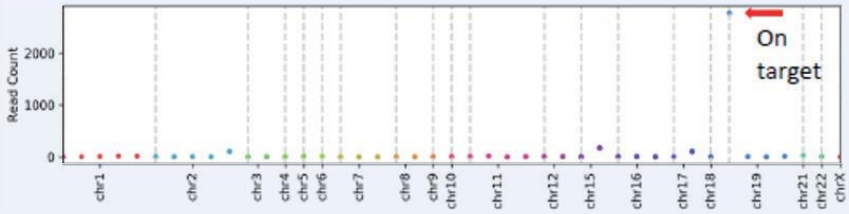


最適化（アレル特異的遺伝子編集のさらなる最適化をAIで行う）

OMNI-A1-V10

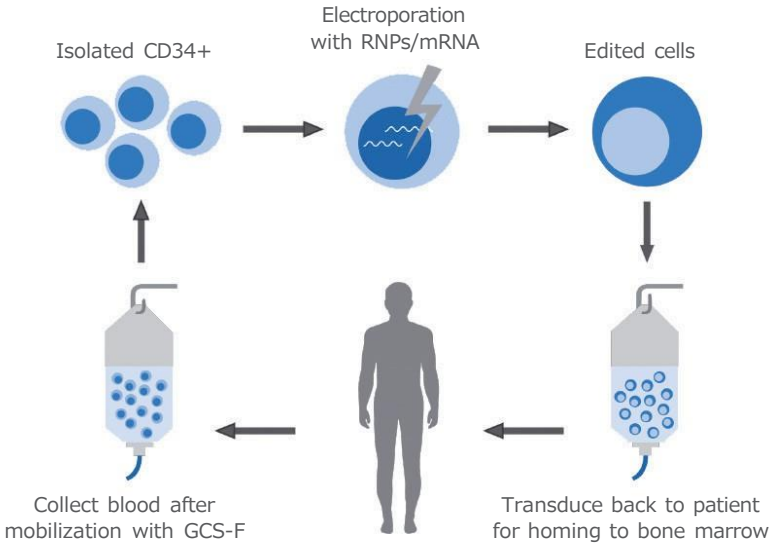
オンターゲット（疾患の原因となる箇所）
以外は、ほとんど切断が起こらない
⇒切るべき箇所以外の所は、余計には
　切っていない

OMNI　A1　V10



オフターゲット効果の回避が必要な ELANE関連重症先天性好中球減少症の治療を目指す

EmendoBio社のOMNI　Platformを活用し、ELANE関連重症先天性好中球減少症（SCN）の治療方法を開発しています。臨床前の研究において、正常な遺伝子には傷をつけず、ほとんど同じ配列を持つ異常な遺伝子のみを正確に区別して破壊（アレル特異的遺伝子編集）し、その結果、造血幹細胞が好中球に分化できるようになったことを確認しました。今後、ELANE関連重症先天性好中球減少症（SCN）を対象に臨床試験の開始を目指してまいります。



EmendoBioパイプライン

Disease Area	Program	Target	Indication	Approach	Research	Lead Optimization	IND-Enabling	Phase 1
Hematology	EMD-101	ELANE	Severe Congenital Neutropenia	Allele-specific ex vivo excision				
Cardiovascular	EMD-301	LDLR	**ASCVD not at LDL-C goal** Including Heterozygous Familial Hypercholesterolemia (HeFH)	In vivo excision				
	EMD-302	ANGPTL3	**ASCVD not at LDL-C goal** Including Homozygous Familial Hypercholesterolemia (HoFH)	In vivo KO				
Ocular	EMD-201	SARM1	Glaucoma	In vivo KO				
	EMD-202	RHO	Retinitis Pigmentosa	In vivo excision				
	EMD-203	RPE65	Retinitis Pigmentosa	In vivo excision				

会社情報

会社概要

商　　号	アンジェス株式会社
本社所在地	大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号 彩都バイオインキュベータ
代　表　者	山田　英（代表取締役 社長）
設立年月日	1999年12月17日
資　本　金	37,255百万円（2024年12月末現在）
従業員数	55名（2024年12月末現在：連結）
主な事業	遺伝子医薬品の研究開発・検査受託サービス

事業所

本社

〒567-0085　大阪府茨木市彩都あさぎ七丁目7番15号　彩都バイオインキュベータ

東京支社

〒108-0014　東京都港区芝四丁目13番3号 PMO田町Ⅱ9階

殿町研究開発センター（CMC開発部・創薬研究部）

〒210-0821 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-14
ナノ医療イノベーションセンター内

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）

〒210-0821 神奈川県川崎市川崎区殿町三丁目25-13
川崎生命科学・環境研究センター内

グループ会社

AnGes USA,Inc.

111 Town Square Place, Suite 1140, Jersey City, New Jersey, 07310 USA

EmendoBio Inc.

400 W 61st St, #2330 New York, NY USA

遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して

https://www.anges.co.jp

2025.5