

平成22年12月期 第3四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

平成22年10月29日

上場会社名 アンジェス MG株式会社  
 コード番号 4563 URL <http://www.anges-mg.com/>  
 代表者 (役職名) 代表取締役社長  
 問合せ先責任者 (役職名) 経理部長  
 四半期報告書提出予定日 平成22年11月1日  
 四半期決算補足説明資料作成の有無 : 無  
 四半期決算説明会開催の有無 : 無

(氏名) 山田 英  
 (氏名) 西島 雄一  
 配当支払開始予定日 未定

TEL 03-5730-2753

上場取引所 東

(百万円未満切捨て)

1. 平成22年12月期第3四半期の連結業績(平成22年1月1日～平成22年9月30日)

(1) 連結経営成績(累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
22年12月期第3四半期	187	△61.7	△1,467	—	△1,319	—	△1,342	—
21年12月期第3四半期	489	—	△2,083	—	△2,254	—	△2,390	—

	1株当たり四半期純利益	潜在株式調整後1株当たり四半期純利益
	円銭	円銭
22年12月期第3四半期	△11,378.04	—
21年12月期第3四半期	△20,300.85	—

(2) 連結財政状態

	総資産		純資産		自己資本比率	1株当たり純資産
	百万円	円銭	百万円	円銭	%	円銭
22年12月期第3四半期	5,610	—	4,943	—	85.7	40,742.66
21年12月期	7,162	—	6,512	—	89.5	54,345.29

(参考) 自己資本 22年12月期第3四半期 4,807百万円 21年12月期 6,412百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円銭	円銭	円銭	円銭	円銭
21年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
22年12月期	—	0.00	—	—	—
22年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注)当四半期における配当予想の修正有無 無

3. 平成22年12月期の連結業績予想(平成22年1月1日～平成22年12月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	売上高		営業利益		経常利益		当期純利益		1株当たり当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円銭
通期	300	—	△2,300	—	△2,100	—	△2,100	—	△17,797.97

(注)当四半期における業績予想の修正有無 無

4. その他（詳細は、【添付資料】P.3「2. その他の情報」をご覧ください。）

(1) 当四半期中における重要な子会社の異動 無

新規 一社（社名

）、除外 一社（社名

）

（注）当四半期会計期間における連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動の有無となります。

(2) 簡便な会計処理及び特有の会計処理の適用 有

（注）簡便な会計処理及び四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用の有無となります。

(3) 会計処理の原則・手続、表示方法等の変更

① 会計基準等の改正に伴う変更 無

② ①以外の変更 無

（注）「四半期連結財務諸表作成のための基本となる重要な事項等の変更」に記載される四半期連結財務諸表作成に係る会計処理の原則・手続、表示方法等の変更の有無となります。

(4) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む） 22年12月期3Q 117,991株 21年12月期 117,991株

② 期末自己株式数 22年12月期3Q 一株 21年12月期 一株

③ 期中平均株式数（四半期累計） 22年12月期3Q 117,991株 21年12月期3Q 117,751株

※四半期レビュー手続の実施状況に関する表示

この四半期決算短信は、金融商品取引法に基づく四半期レビュー手続の対象外であります。なお、この四半期決算短信の開示時点において、金融商品取引法に基づく四半期財務諸表に対する四半期レビュー手続は終了しております。

※業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、【添付資料】3ページ「(3) 連結業績予想に関する定性的情報」をご覧ください。

## ○添付資料の目次

1. 当四半期の連結業績等に関する定性的情報 .....	2
(1) 連結経営成績に関する定性的情報 .....	2
(2) 連結財政状態に関する定性的情報 .....	2
(3) 連結業績予想に関する定性的情報 .....	2
2. その他の情報 .....	3
(1) 重要な子会社の異動の概要 .....	3
(2) 簡便な会計処理及び特有の会計処理の概要 .....	3
(3) 会計処理の原則・手続、表示方法等の変更の概要 .....	3
(4) 継続企業の前提に関する重要事象等の概要 .....	3
3. 四半期連結財務諸表 .....	4
(1) 四半期連結貸借対照表 .....	4
(2) 四半期連結損益計算書 .....	6
(第3四半期連結累計期間) .....	6
(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書 .....	7
(4) 継続企業の前提に関する注記 .....	9
(5) セグメント情報 .....	9
(6) 株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記 .....	10
4. 補足情報 .....	10
(1) 事業等のリスク .....	10
(2) 研究開発の状況 .....	11

## 1. 当四半期の連結業績等に関する定性的情報

## (1) 連結経営成績に関する定性的情報

当第3四半期連結累計期間において、当社グループ（当社及び連結子会社3社）では、遺伝子医薬品の研究開発を着実に進めるとともに、新たな提携候補先との契約交渉を行うなど、事業の拡大を図ってきました。当第3四半期連結累計期間の連結業績は、以下の通りです。

当第3四半期連結累計期間の事業収益は1億87百万円（前年同期比3億2百万円（△61.7%）の減収）となりました。

当社グループでは、平成20年4月より販売を開始しましたムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の販売収入につき、医薬品事業の事業収益に計上しております。

医薬品事業以外のその他の事業については、HVJ-E非ウイルス性ベクター遺伝子機能解析用キットや、NF-κBデコイオリゴを含むデコイ型核酸医薬に関して、提携企業より、これら研究用試薬の販売額の一定率をロイヤリティとして受け入れ、事業収益に計上しております。

当第3四半期連結累計期間につきましては、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」の商品売上高が増加したものの、開発協力金収入の減少や、連結子会社ジェノメディア株式会社におけるライセンス契約関連収入が減少しており、事業収益全体としては前年同期比3億2百万円の減収となっております。

当第3四半期連結累計期間における事業費用は、16億54百万円（前年同期比9億18百万円（△35.7%）の減少）となりました。内訳は、売上原価が57百万円（前年同期比11百万円（+23.6%）の増加）、研究開発費10億10百万円（前年同期比9億89百万円（△49.5%）の減少）、販売費及び一般管理費は5億86百万円（前年同期比59百万円

（+11.3%）の増加）です。事業費用減少の主な要因は、Allovetin-7の開発に関する米国バイカル社への開発協力金負担の減少によるものです。なお、研究開発の詳細は後述の「4. 補足情報 (2) 研究開発の状況」をご覧ください。

以上の結果、当第3四半期連結累計期間の営業損失は14億67百万円（前年同期の営業損失は20億83百万円）となり、前年同期より6億16百万円の損失減少となりました。

当第3四半期連結累計期間の経常損失は13億19百万円（前年同期の経常損失は22億54百万円）となり、9億35百万円の損失減少となりました。これは、主に営業損失の減少及び投資事業組合運用損の減少によるものです。

当第3四半期連結累計期間の四半期純損失は、13億42百万円（前年同期の四半期純損失は23億90百万円）となり、前年同期より10億47百万円の損失減少となりました。これは、主に前第3四半期連結累計期間において、当社の保有する株式会社TSD Japanの株式について投資有価証券評価損を計上したことによるものです。

なお、当第3四半期連結会計期間において、固定資産除却損が7百万円増加しておりますが、これらは複数の資産除却による増加であります。

## (2) 連結財政状態に関する定性的情報

当第3四半期連結会計期間末の総資産は56億10百万円（前連結会計年度末比15億51百万円の減少）となりました。流動資産は、コラテジェンの仕入により原材料が1億34百万円増加しましたが、主に当期事業費用への充当により現金及び預金が9億72百万円減少し、満期償還により有価証券が5億61百万円減少しました。その結果、流動資産は46億14百万円（前連結会計年度末比13億21百万円の減少）となりました。一方、固定資産は、9億95百万円（前連結会計年度末比2億30百万円の減少）となりました。主にバイカルリンク株式の時価評価の下落に伴い、投資有価証券が1億66百万円減少しております。

当第3四半期連結会計期間末の負債は6億66百万円（前連結会計年度末比17百万円の増加）となりました。内訳は流動負債6億66百万円（前連結会計年度末比17百万円の増加）となっております。

純資産は49億43百万円（前連結会計年度末比15億69百万円の減少）となりました。これは、四半期純損失の発生に伴い利益剰余金が13億42百万円減少していることが主な要因です。

## (キャッシュ・フローの状況)

当第3四半期連結累計期間末における現金及び現金同等物は、前連結年度末に比べ27百万円増加し、30億76百万円となりました。当第3四半期連結累計期間のキャッシュ・フローの状況は次のとおりです。

営業活動の結果使用した資金は、13億94百万円（前年同期は18億49百万円の資金の使用）となり、前年同期より使用した資金は4億54百万円減少しております。これは主に、税金等調整前四半期純損失が10億44百万円減少したことによるものです。

投資活動の結果得られた資金は、14億36百万円（前年同期は16百万円の資金の使用）となりました。前年同期と比較して、定期預金の預け入れによる支出が5億円、有価証券の取得による支出が2億59百万円減少し、また、有価証券の償還による収入が8億円増加したため、前年同期より14億53百万円の収入増加となりました。

財務活動の結果使用した資金はありません（前年同期は0百万円の資金の使用）。

## (3) 連結業績予想に関する定性的情報

当社グループは創薬系バイオベンチャーです。平成20年4月にムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム」を販売した

ものの、多くの開発品については医薬品開発を行う先行投資の段階にあり、当社グループの当期の見通しについては、医薬品開発の進捗状況や新たな提携契約の締結等の影響により変動する可能性があります。

現時点における平成22年12月期の連結業績予想としては、平成22年9月17日に公表いたしました業績予想の修正通り、事業収益は300百万円、営業利益△2,300百万円、経常利益△2,100百万円、当期純利益△2,100百万円を見込んでおります。

## 2. その他の情報

### (1) 重要な子会社の異動の概要

該当事項はありません。

### (2) 簡便な会計処理及び特有の会計処理の概要

(簡便な会計処理)

棚卸資産の評価方法について、第3四半期連結会計期間末の棚卸高の算出に関しては、実地棚卸を省略し、前連結会計年度末の実地棚卸高を基礎とした合理的な方法により算出する方法によっております。

### (3) 会計処理の原則・手続、表示方法等の変更の概要

該当事項はありません。

### (4) 継続企業の前提に関する重要事象等の概要

該当事項はありません。

3. 四半期連結財務諸表  
 (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	当第3四半期連結会計期間末 (平成22年9月30日)	前連結会計年度末に係る 要約連結貸借対照表 (平成21年12月31日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	2,576,972	3,549,098
売掛金	73,822	64,648
有価証券	937,066	1,498,278
商品	85,195	33,447
仕掛品	—	1,798
原材料及び貯蔵品	612,889	480,416
前渡金	273,629	247,132
前払費用	23,279	28,215
立替金	436	1,089
その他	30,957	31,300
流動資産合計	4,614,249	5,935,426
固定資産		
有形固定資産		
建物	58,748	58,599
減価償却累計額	△45,254	△43,276
建物(純額)	13,494	15,322
機械及び装置	52,847	53,091
減価償却累計額	△51,740	△51,607
機械及び装置(純額)	1,107	1,483
工具、器具及び備品	402,514	400,778
減価償却累計額	△367,723	△356,761
工具、器具及び備品(純額)	34,790	44,016
有形固定資産合計	49,392	60,823
無形固定資産		
特許権	160,467	195,654
その他	8,849	16,561
無形固定資産合計	169,316	212,215
投資その他の資産		
投資有価証券	662,698	829,443
敷金及び保証金	54,663	54,784
その他	59,848	69,453
投資その他の資産合計	777,211	953,681
固定資産合計	995,920	1,226,720
資産合計	5,610,170	7,162,146

(単位：千円)

	当第3四半期連結会計期間末 (平成22年9月30日)	前連結会計年度末に係る 要約連結貸借対照表 (平成21年12月31日)
負債の部		
流動負債		
買掛金	72,056	49,134
未払金	50,894	42,199
未払費用	7,507	11,161
未払法人税等	14,149	23,821
前受金	512,854	515,101
預り金	9,260	7,799
流動負債合計	666,722	649,218
負債合計	666,722	649,218
純資産の部		
株主資本		
資本金	9,460,618	9,460,618
資本剰余金	7,771,361	7,771,361
利益剰余金	△12,500,592	△11,158,086
株主資本合計	4,731,387	6,073,893
評価・換算差額等		
その他有価証券評価差額金	118,014	370,141
為替換算調整勘定	△42,134	△31,780
評価・換算差額等合計	75,880	338,361
新株予約権	136,180	100,673
純資産合計	4,943,447	6,512,927
負債純資産合計	5,610,170	7,162,146

(2) 四半期連結損益計算書  
(第3四半期連結累計期間)

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自平成21年1月1日 至平成21年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自平成22年1月1日 至平成22年9月30日)
事業収益		
商品売上高	97,728	126,192
研究開発事業収益	391,923	61,199
事業収益合計	489,651	187,391
事業費用		
売上原価	46,862	57,902
研究開発費	1,999,852	1,010,514
販売費及び一般管理費	526,660	586,033
事業費用合計	2,573,376	1,654,450
営業損失(△)	△2,083,724	△1,467,058
営業外収益		
受取利息	11,146	7,073
為替差益	—	22,163
補助金収入	147,367	120,843
業務受託料	3,015	3,015
雑収入	1,357	3,080
営業外収益合計	162,886	156,176
営業外費用		
株式交付費	201	—
投資事業組合運用損	321,288	8,258
為替差損	12,228	—
雑損失	16	—
貸倒引当金繰入額	227	—
営業外費用合計	333,962	8,258
経常損失(△)	△2,254,801	△1,319,139
特別損失		
固定資産除却損	25,378	16,182
投資有価証券評価損	100,029	—
特別損失合計	125,408	16,182
税金等調整前四半期純損失(△)	△2,380,209	△1,335,322
法人税、住民税及び事業税	10,236	7,183
法人税等合計	10,236	7,183
四半期純損失(△)	△2,390,445	△1,342,506

## (3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 平成21年1月1日 至 平成21年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税金等調整前四半期純損失 (△)	△2,380,209	△1,335,322
減価償却費	93,890	75,213
受取利息	△11,146	△7,073
為替差損益 (△は益)	8,613	3,564
投資事業組合運用損益 (△は益)	323,272	10,242
固定資産除却損	24,531	16,182
投資有価証券評価損益 (△は益)	100,029	—
株式交付費	201	—
株式報酬費用	28,567	35,507
売上債権の増減額 (△は増加)	5,339	△9,173
たな卸資産の増減額 (△は増加)	51,612	△182,422
仕入債務の増減額 (△は減少)	9,015	22,922
前渡金の増減額 (△は増加)	△7,664	△26,497
未払金の増減額 (△は減少)	△13,388	7,525
前受金の増減額 (△は減少)	△83,602	△2,246
その他の流動資産の増減額 (△は増加)	22,765	4,666
その他の流動負債の増減額 (△は減少)	△19,168	△14,506
その他の固定資産の増減額 (△は増加)	921	—
小計	△1,846,418	△1,401,415
利息の受取額	11,364	11,201
法人税等の支払額	△13,987	△4,611
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,849,040	△1,394,825
投資活動によるキャッシュ・フロー		
定期預金の預入による支出	△500,000	—
定期預金の払戻による収入	500,000	500,000
有価証券の取得による支出	△1,000,030	△740,115
有価証券の償還による収入	1,000,000	1,800,000
有形固定資産の取得による支出	△8,358	△7,351
有形固定資産の売却による収入	—	19
無形固定資産の取得による支出	△23,435	△18,929
投資有価証券の取得による支出	—	△97,000
投資有価証券の売却による収入	15,178	—
長期前払費用の取得による支出	△2,719	—
敷金及び保証金の差入による支出	—	△401
敷金及び保証金の回収による収入	165	396
その他の収入	2,719	—
投資活動によるキャッシュ・フロー	△16,480	1,436,616

(単位：千円)

	前第3四半期連結累計期間 (自 平成21年1月1日 至 平成21年9月30日)	当第3四半期連結累計期間 (自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日)
財務活動によるキャッシュ・フロー		
その他の支出	△201	—
財務活動によるキャッシュ・フロー	△201	—
現金及び現金同等物に係る換算差額	△8,578	△13,967
現金及び現金同等物の増減額 (△は減少)	△1,874,300	27,824
現金及び現金同等物の期首残高	5,799,571	3,049,098
現金及び現金同等物の四半期末残高	3,925,270	3,076,922

(4) 継続企業の前提に関する注記

当第3四半期連結累計期間（自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日）  
該当事項はありません。

(5) セグメント情報

〔事業の種類別セグメント情報〕

前第3四半期連結累計期間（自 平成21年1月1日 至 平成21年9月30日）及び当第3四半期連結累計期間  
（自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日）

前第3四半期連結累計期間及び当第3四半期連結累計期間において、医薬事業の事業収益、営業利益の金額は全セグメントの事業収益の合計額、営業利益の合計額の90%を超えているため、事業の種類別セグメント情報の記載を省略しております。

〔所在地別セグメント情報〕

前第3四半期連結累計期間（自 平成21年1月1日 至 平成21年9月30日）

	日本 (千円)	北米 (千円)	欧州 (千円)	計 (千円)	消去又は全社 (千円)	連結 (千円)
事業収益						
(1) 外部顧客に対する事業収益	489,651	—	—	489,651	—	489,651
(2) セグメント間の内部事業収益又は振替高	—	185,781	5,614	191,395	(191,395)	—
計	489,651	185,781	5,614	681,047	(191,395)	489,651
営業利益又は営業損失(△)	△2,095,658	8,923	494	△2,086,239	2,514	△2,083,724

当第3四半期連結累計期間（自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日）

	日本 (千円)	北米 (千円)	欧州 (千円)	計 (千円)	消去又は全社 (千円)	連結 (千円)
事業収益						
(1) 外部顧客に対する事業収益	187,391	—	—	187,391	—	187,391
(2) セグメント間の内部事業収益又は振替高	—	164,467	4,634	169,101	(169,101)	—
計	187,391	164,467	4,634	356,493	(169,101)	187,391
営業利益又は営業損失(△)	△1,476,222	8,914	250	△1,467,058	—	△1,467,058

(注) 1 国又は地域は、地理的近接度により区分しております。

2 本邦以外の区分に属する国又は地域の内訳は次のとおりであります。

- (1) 北米……米国
- (2) 欧州……英国

〔海外売上高〕

前第3四半期連結累計期間（自 平成21年1月1日 至 平成21年9月30日）及び当第3四半期連結累計期間  
（自 平成22年1月1日 至 平成22年9月30日）

海外売上高がないため、該当事項はありません。

## (6) 株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記

当第3四半期連結累計期間(自平成22年1月1日至平成22年9月30日)

	株主資本			
	資本金	資本剰余金	利益剰余金	株主資本合計
平成21年12月31日残高(千円)	9,460,618	7,771,361	△11,158,086	6,073,893
四半期連結累計期間中の変動額				
四半期純損失			△1,342,506	△1,342,506
四半期連結累計期間中の変動額合計(千円)			△1,342,506	△1,342,506
平成22年9月30日残高(千円)	9,460,618	7,771,361	△12,500,592	4,731,387

## 4. 補足情報

## (1) 事業等のリスク

前事業年度末に記載した事業等のリスクについて、当第3四半期連結会計期間における、重要な変更は以下のとおりです。

## ① 遺伝子治療の現状について

遺伝子治療とは、遺伝子を用いて病気を治療することです。世界初の遺伝子治療は、1990年に米国で実施され、アデノシン・デアミナーゼ(ADA)欠損症という先天的に免疫が正常に働かない遺伝性疾患が対象となりました。その後は、ADA欠損症などの遺伝性疾患だけでなく、有効な治療法がない癌や後天性免疫不全症候群などに対しても、遺伝子治療が実施されてきました。国内でも1995年に北海道大学においてADA欠損症を対象とした初めての遺伝子治療が行われ、その後、1998年に東京大学医科学研究所において腎臓癌、1999年に岡山大学において肺癌を対象とした遺伝子治療が実施されてきました。このように遺伝子治療としては、19年間に亘り数多くの臨床試験が行われています。

一方で、遺伝子治療は、新規性が高い治療法であることから、現段階では未知のリスクが否定できません。リスクとベネフィットの関係から、その対象疾患は、重篤な遺伝性疾患、癌、後天性免疫不全症候群その他の生命を脅かす疾患又は身体の機能を著しく損なう疾患に限られています。

遺伝子治療が有効と考えられる対象疾患としては、遺伝子の変異が原因の遺伝性疾患があります。遺伝性疾患は、遺伝子治療により正常な遺伝子が補充されるため、治療効果が期待しやすいと考えられる疾患です。

次に、遺伝子治療の対象疾患としては癌領域が期待されています。癌領域は、従来の治療法では十分な治療効果が得られない場合が多く、新しい治療法である遺伝子治療に期待が高まっています。癌の遺伝子治療には、癌抑制遺伝子を投与する方法や、患者の免疫力を高める遺伝子を投与する方法などが研究されています。

最近では、血管疾患や心臓疾患、関節リウマチ、神経変性疾患なども遺伝子治療の対象として臨床での研究が進められています。特に、当社が開発を進めているHGF遺伝子治療の対象である足の血管が詰まる閉塞性動脈硬化症や、心筋に酸素や栄養を送る冠動脈の硬化によって起こる虚血性心疾患は、世界の患者数が大変多い疾患領域でもあり、事業性の面からも注目されています。

遺伝子治療薬については、米国を中心に多くの臨床試験が実施されているものの、世界の中で、承認及び上市され、販売された製品がある地域は中国のみであり、日本国内、米国及び欧州の先進国においては上市された製品はありません。当社は、国内において、虚血性疾患治療剤「コラテジェン」(HGF遺伝子治療薬)の製造販売承認を申請しておりましたが、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)との協議の結果、国内第Ⅲ相試験において有効性の確認は出来たものの、当社の求める適応の承認取得には更なる臨床データの集積が必要との結論に至り、2010年9月17日に承認申請を取り下げ、必要な追加試験の実施後に再申請することを決定いたしました。今後は、追加データ取得の為に国際共同第Ⅲ相試験への参加することで、日本において最短かつ確実に承認を取得することを目指します。

## ② 薬事法による規制について

薬事法は、医薬品・医療機器等の品質、有効性、安全性確保の観点から、企業が行う製造・販売等に関して必要な規制を行う法律です。当社グループは、現在、遺伝子治療薬等を中心とした医薬品の研究開発を行っておりますが、薬事法の規制を受けております。

当社グループは、国内において、虚血性疾患治療剤「コラテジェン」を承認申請していましたが、追加試験実施に伴い一旦承認申請を取り下げておりますが、追加試験実施後は再申請する予定です。NF- $\kappa$ Bデコイオリゴについても、臨床試験等の研究開発を進めております。米国においてもコラテジェンの臨床試験を進めております。当社は、開発の過程で得られた様々な試験の結果を活用し、薬事法に基づいて、厚生労働大臣に対して医薬品の製造販売承認申請を行い、承認を取得することを目指しております。医薬品は、創薬から製造販売承認申請を経て、製造販売承認を取得するに至るまでには、膨大な開発コストと長い年月を必要とします。承認取得の可能性は、申請後の承認審査に耐え得るだけの品質、有効性及び安全性に関する十分な試験の結果が得られ、医薬品としての有用性を示すことができるか否かに依存しております。これは国内に限らず、米国の場合でも同様なことが言えます。このため、試験データの不足などが原因で、承認が計画どおりに取得できず、ひいては上市が困難といった事態の発生も想定されます。このような場合にあっては、当社グループの事業戦略や経営成績に重大な影響を及ぼす可能性があります。

## (2) 研究開発の状況

当社グループでは、以下のプロジェクトを中心に研究開発を進めました。

虚血性疾患治療剤「コラテジェン」(HGF遺伝子治療薬)については、重症虚血肢を有する閉塞性動脈硬化症及びバージャー病を適応症として、平成20年3月に国内において製造販売承認申請を行い、その後、承認審査機関である独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)との協議を重ねてまいりました。その結果、国内第Ⅲ相試験において本剤の有効性は確認できたものの、当社の求める適応の承認取得には更なる臨床データの集積が必要との結論に至ったことから、一旦承認申請を取り下げ、必要な追加試験の実施後に再申請することに決定いたしました。

現在、当社ではコラテジェンの海外での上市を目的とし、欧米において国際共同第Ⅲ相試験の準備を進めており、本試験は既に米国FDA(米国食品医薬品局)よりSPA(Special Protocol Assessment、特別プロトコール査定)を取得しております。加えて、本年9月には米国FDAからFast Track指定を取得いたしました。今後、日本からもこの国際共同第Ⅲ相試験に参加することで、日本において最短かつ確実に承認を取得することを目指します。なお、日本においては引き続き第一三共株式会社に販売権を供与しておりますが、今後の開発費については当社で負担する予定です。

これらを踏まえ、現在、国際共同第Ⅲ相臨床試験の開発を実施する為のパートナー候補との提携交渉中であり、提携が決定次第、試験を開始したいと考えております。

NF- $\kappa$ Bデコイオリゴに関してはアトピー性皮膚炎適応の共同開発パートナーを選定していましたが、平成22年3月29日に、グローバル開発が可能な塩野義製薬株式会社との間でNF- $\kappa$ Bデコイオリゴの外剤全般の共同開発を前提とした正式な協議の開始に基本合意し、現在、塩野義製薬へ独占的販売権を付与する諸条件の検討を進めております。このことにより、欧米を含めた迅速なグローバル開発が可能となり、NF- $\kappa$ Bデコイオリゴの価値を最大化する事ができると考えております。また、当社はNF- $\kappa$ Bデコイオリゴの皮膚浸透性を向上するため、株式会社メドレックスが保有する新規経皮製剤技術I L T S (Ionic Liquid Transdermal System)を用いた新製剤の共同開発を進めてまいりましたが、平成22年4月9日に、メドレックスとの間で本技術の実施権取得に関する本格的な協議を開始する事に合意致しました。このI L T S技術をNF- $\kappa$ Bデコイオリゴ製剤に活用することで、より広範囲の炎症性皮膚疾患への応用が期待できると考えております。

さらに、NF- $\kappa$ Bデコイオリゴの次世代型として株式会社ジーンデザイン、ホソカワミクロン株式会社及び大阪大学との間において、新規構造を有する核酸ハイブリッドデコイにより難治性炎症性疾患に対する医薬品開発を目指す産学4者共同研究開発を進めております。

また、PTAバルーンカテーテルの外表面に塗布するNF- $\kappa$ Bデコイオリゴにより、血管炎症が強力に抑制される事で血管の再狭窄を予防する新世代の医療機器の開発プロジェクトをNEDO(独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構)の助成のもとで行っております。現状の末梢血管内治療法では血管の再狭窄率が高く「再狭窄予防」が期待できるPTAバルーンカテーテルが求められており、本製品の開発によりカテーテル血管拡張の再処置や外科的バイパス手術の回避が可能になり、患者QOLの向上や患者負担の軽減が期待できます。

抗菌作用を有する機能性ペプチドに関しては、平成21年4月より森下仁丹株式会社と共同で研究を実施しており、同社の傷あて材などの医療機器における強みを生かして、応用製品の共同研究を進めてまいります。

GEN0101については、子会社ジェノメディア株式会社は株式会社TSD Japanに前立腺癌分野におけるライセンス契約を締結しており、これまでに前臨床試験データの取得をほぼ完了しております。また、平成22年5月におきなわ新産業創出研究開発支援事業(財団法人沖縄県産業振興公社)に「ニードルレス注射器を用いたパンデミックインフルエンザに対する高性能DNAワクチンの開発」が採択され、2010年9月に開設した沖縄ラボでブタインフルエンザを予防する家畜用DNAワクチンの研究開発に取り組んでおります。

転移性メラノーマ(悪性黒色腫)治療薬Allovetin-7については、提携先の米国バイカル社と米国FDAとの間で

SPA合意に基づく第Ⅲ相試験として、米国、欧州を中心とした15カ国の国際共同治験を実施中です。試験は予定通り順調に進んでおり、平成22年1月に目標症例登録を終了し、2月に全症例登録を完了致しました。また、本年9月にはバイカル社が米国FDAからFast Track指定を取得いたしました。転移性メラノーマは進行が早く生存率が低い難病ですが、既存薬は治療効果が低く副作用が強いことから、より有効で安全性に優れた治療薬が求められております。Allovectin-7は、免疫の賦活化(活性化誘導)により腫瘍細胞を直接攻撃して除去する新しいメカニズムの免疫誘導型の癌治療ワクチンであり、安全性、有効性ともに既存薬を上回る新薬として期待されております。

**医薬品開発の状況**

(自社品)

区分	製品名/プロジェクト	適応症	地域	開発段階	主な提携先
医薬品	コラテジェン (HGF遺伝子治療薬)	重症下肢虚血(閉塞性動脈硬化症の重症)及びパーキンソン病	日本	第Ⅲ相準備中	第一三共株式会社 (販売権供与)
			欧米		未定
		虚血性心疾患	日本	臨床準備中	第一三共株式会社 (販売権供与)
	NF-κBデコイオリゴ	アトピー性皮膚炎	日本	第Ⅱ相	(塩野義製薬株式会社と協議中)
			欧米	前臨床	
			パーキンソン病		前臨床
医療機器	薬剤塗布型PTAバルーンカテーテル	血管再狭窄予防		臨床準備中	メディキット株式会社 ホソカワミクロン株式会社 (共同研究)
	機能性ペプチド	創傷		応用研究中	森下仁丹株式会社 (共同研究)

(提携開発品)

区分	製品名/プロジェクト	適応症	地域	開発段階	開発企業	当社の権利
医薬品	Allovectin-7 (遺伝子治療薬)	悪性黒色腫 (メラノーマ)	欧米	第Ⅲ相	バイカル社(米)	欧米売上高に対するロイヤリティ受取権、アジアの開発販売権

(連結子会社ジェノメディア株式会社の開発品)

区分	開発コード	適応症	地域	開発段階	主な提携先
医薬品	GEN0101	前立腺癌	日本	前臨床	株式会社TSD Japan (製造開発販売権供与)