

# AnGes Report

アンジェス通信 2017.1.1-2017.6.30

第 **19** 期  
中間期

**A**spiration

**N**etwork

**G**enesis

**E**thics

**S**peed

## 株主の皆様へ

日頃より当社の経営にご理解とご支援をいただき、誠にありがとうございます。

当社が設立以来手がけてきた主力事業であるHGF遺伝子治療薬(重症虚血肢)の開発はいよいよ大詰めを迎え2017年8月に全ての症例の観察期間が終了、今年秋の申請を目指してまいります。承認されれば日本初の遺伝子治療薬となり、当社にとって大きなターニングポイントになるものです。また、NF-κBデコイオリゴDNA(椎間板性腰痛症)、DNAワクチン(高血圧)につきましてもそれぞれ米国、豪州において今年後半を目途に臨床試験を開始すべく準備を進めております。

一方、製品化までの成功確率や事業性の低下した案件については、中止あるいは一時中断することとし、上記の重点的なプロジェクトに経営資源を集中、開発を前進させることで、株主の皆様のご期待にお応えしてまいりたいと存じます。

代表取締役社長 山田 英

AnGes

証券コード 4563

アンジェス株式会社



## 日本初の遺伝子治療薬誕生に向けて いよいよ承認申請へ

代表取締役社長 山田 英

### HGF遺伝子治療薬 【重症虚血肢】

#### 人々の健康と希望にあふれた 暮らしの実現を目指して

当社創業の第一の目的であり、設立以来挑戦を重ねてきた「HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）」の開発が、いよいよ大きなターニングポイントを迎えようとしています。2017年8月には、目標症例数である6例目の被験者への投与後の観察期間が終了いたしました。これまで蓄積したデータに本臨床研究の結果も併せて2017年秋に国内での承認申請を行い、2018年中の承認獲得を目指します。承認されれば

日本初の遺伝子治療薬となり、次世代医療のさらなる発展に、ひいては当社が企業理念として掲げる「人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現」につながるものとなります。

当初予定よりも進捗が遅れ、株主の皆様には大変ご心配をおかけしておりましたが、HGF遺伝子治療薬の研究開発ステージから製品化ステージへの移行が間近となっております。

#### 重症虚血肢の新しい 治療法の確立に向けて

HGFは、1984年に日本で発見された肝細胞を増やす因子です。その後、HGFに肝臓だけではなく、

血管を新しく作りだす能力（血管新生作用）があることを大阪大学の森下竜一教授が発見しました。当社はその特許技術を基に、世界初のHGF遺伝子治療薬を創ることを目的に1999年に設立、その開発を進めてまいりました。

重症虚血肢とは、足の血管が詰まって血液の循環が悪くなることが原因で安静時の痛みや潰瘍を起こし、症状が進行すると足の切断や死亡に至る重い疾患です。現在の治療法は、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（カテーテルにより詰まった血管の内側を広げて血流を改善する治療法）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、

### 臨床開発ステージにある重点プロジェクトの状況

■ 自社オリジン開発品 ■ 導入開発品

開発ステージ	前臨床	Phase 1	Phase 2	Phase 3	上市
HGF遺伝子治療薬				HGF 重症虚血肢	国内：医師主導臨床研究実施中 今年秋の申請を目指す 海外：米国で新試験を計画中
NF-κB デコイオリゴ DNA		NF-κBデコイ 腰痛症	米国 P1b IND承認済	NF-κBデコイ アトピー性皮膚炎 軟膏剤	国内P3主要評価項目 において統計学的な 有意差に至らず
DNA ワクチン		高血圧 DNA ワクチン	オーストラリア P1/2 CTN提出済		
導入					ナグラザイム® ムコ多糖症VI型 日本（自社販売）

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。当社が確立を目指している遺伝子治療薬は、このような患者さんに対して新しい治療手段を提供する可能性があります。HGF遺伝子を組み込んだプラスミド（環状のDNA分子）を虚血部位に注射で投与することで、血管新生作用によって新たな血管ができ、血流の回復が促されます。注射剤による治療法は、カテーテルや外科的手術に比べて身体的負担の少ない治療法であり、患者さんの生活の質（クオリティ・オブ・ライフ）の向上にもつながります。

## 再挑戦で国内初の 遺伝子治療薬の実現へ

当社がここに至るまでの道は、決して平坦なものではありませんでした。「HGF遺伝子治療薬」は2007年6月に国内第3相臨床試験において有効性が示され、2008年3月に国内で製造販売承認申請を行いました。しかし、追加の臨床データの集積が必要となったことから

2010年9月に承認申請を取り下げた経緯があります。その後、再生医療分野の条件及び期限付き承認制度が国内で導入されたのを機に、同制度の下で承認獲得を目指す戦略に転換。2014年10月から大阪大学医学部附属病院が主導となり、先進医療B制度（注参照）を活用した医師主導型臨床研究が実施されてまいりました。被験者への投与・観察は既に終了しており、現在、データの取りまとめが進められています（2017年8月中旬時点）。

当社の悲願である「HGF遺伝子治療薬」の実用化に向け、いよいよ国内申請の時期を迎えようとしています。本剤が国内で承認されれば、革新的な医薬品をこの病気に苦しむ多くの患者さんにお届けできるとともに、当社の成長を牽引する起爆剤になるものと期待しております。

当社グループは創業から15年を迎えた2015年2月に策定した「2025年ビジョン」の中で、「遺伝子医薬のグローバルリーダー」となることを目指しております。それを

実現する最初の重要なステップが「HGF遺伝子治療薬」の国内での発売です。当社は本製品の国内販売に関し、2015年6月に田辺三菱製薬との間で独占的販売権許諾契約を締結しております。この契約に基づき、当社は開発の進捗に応じたマイルストーンおよび発売後には売上高に応じた一定の対価を受領することとなっております。

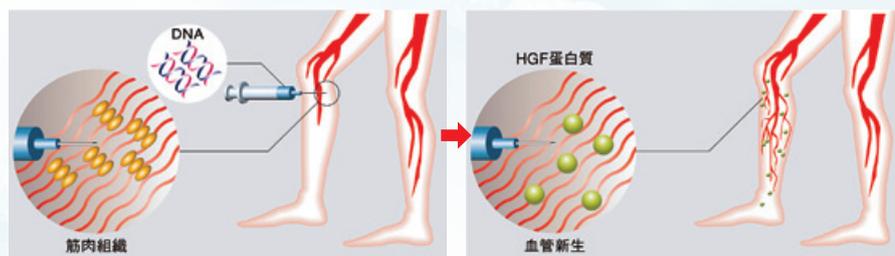
また、海外につきましては、開発戦略の見直しにより米国での新たな試験を計画中です。重症虚血肢の患者数は米国だけで約50万人といわれており、海外には国内に比べ桁違いに大きな潜在市場が存在します。

## NF-κBデコイオリゴDNA 【椎間板性腰痛症】

### 米国で臨床試験開始へ

次世代医薬品として注目されている核酸医薬の一種の「NF-κBデコイオリゴDNA（以下、NF-κBデコイ）」は、炎症の根本に関わるNF-κBの働きを抑えることで従来の治療薬にない薬効をもたらすことが期待されています。現在、椎間板性腰痛症で苦しむ患者さんは世界的に非常に多い一方、有効な治療は限られております。当社は米国においてこの疾患を対象とし

### HGF遺伝子治療薬による血管新生（重症虚血肢）



#### ※先進医療B制度

最新の医療技術の中で、安全性と治療効果を確保した上で、保険診療との併用（混合診療）が認められた制度を「先進医療制度」という。この制度には先進医療AとBがあり、先進医療Bは「未承認または適用外使用である医薬品または医療機器の使用を伴う技術」に対する制度。

たNF- $\kappa$ Bデコイの開発を進めてまいりましたが、2017年4月に米国の規制当局である食品医薬品局（FDA）に申請していた新薬臨床試験開始届け（IND）が承認されました。今年後半からカリフォルニア州立大学サンディエゴ校などで第1b相臨床試験を開始することを目指し、その準備を進めております。

## DNAワクチン [高血圧]

### オーストラリアで 臨床試験開始へ

「DNAワクチン」につきましては、現在アンジオテンシンⅡを標的とした「高血圧DNAワクチン」の治療薬の開発を進めておりますが、2017年7月にオーストラリアの規制当局である薬品・医薬品行政局（TGA）に臨床試験届け（CTN）を提出、今年後半から第1/2相臨床試験を開始することを目指しその準備を進めております。注射剤であるDNAワクチンは1回の投与で長期間にわたって効果が持続することが期待されており、特に定期的な内服薬の服用が難しい高齢の方を中心に患者さんの利便性が大幅に向上します。また、高血圧治療の医薬品市場は国内だけでも約5,000億円と巨大であり、この一部を代替することを目指す「高血圧DNAワクチン」には非常に高い事業性が期待されています。

当社は今後も難病・希少疾患など有効な治療法のない疾患を対象に遺伝子医薬の研究開発に特化して、創業以来目指してきた遺伝子医薬のグローバルリーダーの地位を確かなものにするため、全力を尽くしてまいります。

## 開発プロジェクトの 見直しについて

当社は遺伝子治療薬、核酸医薬、DNAワクチンを中心に複数の医薬品開発を進めておりますが、このたび各プロジェクトの位置づけを更新いたしました。製品化までの成功確率や事業性の低下した以下の2つの案件は中止あるいは一時中断する一方、前述のHGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）、NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAおよびDNAワクチンに重点的なプロジェクトとして経営資源を集中し、開発を前進させてまいります。

### ①HGF遺伝子治療薬：リンパ浮腫

リンパ管の障害で手足が極度に腫れる病気であるリンパ浮腫について、原発性の患者さんを対象とした第1/2相臨床試験を2013年10月以降、国内で実施してまいりました。データ解析の結果、主要評価項目である浮腫の体積に大きな減少は認められなかったため、企業治験としては次の段階に進まないことを決定、中断いたしました。ただし、医師主導による治験・臨床研究が実施される可能性があり、

その際には治験薬や安全性情報などの提供で実施に協力してまいります。また、良好な結果が得られた場合には将来的に自社開発を再開する可能性があります。

### ②アロベクチン：固形がん

提携先の米バイカル社が悪性黒色腫（メラノーマ）を対象に実施した第3相臨床試験では、統計学的な有意差が示されませんでした（2015年8月発表）。その後、当社は頭頸部がんなど他の固形がんへの適応を検討してまいりましたが、抗体医薬品を中心に新薬が相次いで登場し市場環境が激変していることからプロジェクトを継続しないことを決定いたしました。

## 株主の皆様へ

当社は創業以来、株主の皆様のご支援を得て、新薬開発のため多額の資金を先行投資してまいりましたが、必ずしも期待した成果が得られず、ご心配をおかけしてまいりましたが、念願だった「HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢）」という成果が実りつつあります。また、他の主力事業でも実用化に向けた開発に取り組んでおります。

当社は「アンジェス株式会社」という新たな社名のもと、株主の皆様のご期待に応えるべく、全力で新薬開発に努めてまいります。今後とも皆様には適時適切に情報を開示してまいりますので、引き続き変わらぬご支援のほどよろしくお願い申し上げます。

## アンジェスの歩み

### 設立の背景

大阪大学の基礎研究を基に1999年に設立。大学発の創薬ベンチャーとして遺伝子治療薬開発のために誕生しました。2001年1月には池田ラボを開設。2004年に本社および研究所を、現在の大阪府茨木市に移転しました。



2001年当時の池田ラボの様子

1999年12月

大阪府和泉市に株式会社メドジーンを設立

2001年10月

商号をアンジェス エムジー株式会社に変更

2002年9月

東京証券取引所マザーズに上場

2017年7月

商号をアンジェス株式会社に変更

2017年秋

HGF遺伝子治療薬の国内申請を予定

### 社名の由来

「アンジェス (AnGes)」は、新しい血管ができる血管新生を意味する医学用語「Angiogenesis」に由来します。また、フランス語で天使を意味する「Ange」の意味も込められています。



### 行動指針

経営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。

**A**spiration ..... 志  
**N**etwork ..... ネットワーク  
**G**enesis ..... 創生  
**E**thics ..... 倫理  
**S**peed ..... スピード

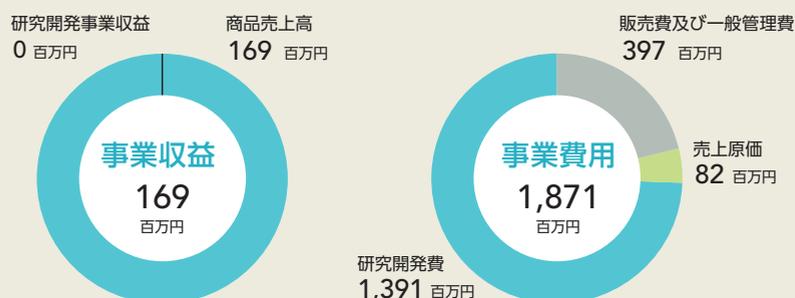
**「遺伝子医療のグローバルリーダーを目指す」**

## 連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2016年12月期中間期	2017年12月期中間期
事業収益	169	169
営業損失	2,796	1,702
経常損失	2,821	1,698
四半期純損失	2,825	2,299
現金及び現金同等物の四半期末残高	2,407	1,830

	2016年12月期末	2017年12月期中間期末
純資産額	3,869	4,479
総資産額	4,539	4,738



### 決算ハイライトのポイント

- 事業収益は、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の販売収入が増加したものの研究開発事業収益の減少により、1億69百万円(前年同期比0百万円(△0.3%))の減収となりました。
- 営業損失は、17億2百万円(前年同期の営業損失は27億96百万円)となり、前年同期より10億93百万円損失が縮小しました。主にNF-κBデコイオリゴDNAのアトピー性皮膚炎治療薬の第3相臨床試験および非臨床試験にかかる費用の減少により、研究開発費が減少したことによるものです。

### 2017年12月期 通期連結業績予想

(単位:百万円)

事業収益	営業損失	経常損失	当期純損失
360	3,400	3,400	3,400

- 通期の業績予想につきましては、適宜精査を行っており、今後修正が必要となった場合には速やかに公表いたします。

※財務情報の詳細は、当社ホームページをご参照ください。 @ <https://www.anges.co.jp/ir/>

## 会社概要

(2017年6月30日現在)

会社名	アンジェス株式会社 (英文名: AnGes, Inc.)	所在地	〈本社・彩都研究所〉 〒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4階
会社設立	1999年12月		
決算期	12月31日		
資本金	5,367百万円		
従業員数	57名(連結)		
事業内容	遺伝子医薬品の研究開発		
URL	<a href="https://www.anges.co.jp/">https://www.anges.co.jp/</a>		
			〈東京支社〉 〒108-0014 東京都港区芝五丁目20番14号 三田鈴木ビル5階

## 株主メモ

事業年度	1月1日～12月31日	単元株式数	100株
株主確定基準日	期末、定時株主総会 12月31日 中間6月30日	公告の方法	電子公告により行う。 公告掲載URL <a href="https://www.anges.co.jp/">https://www.anges.co.jp/</a> (ただし、電子公告によることができない事故、その他のやむを得ない事由が生じたときは、日本経済新聞に公告いたします。)
定時株主総会	毎年3月	上場証券取引所	東京証券取引所
株主名簿管理人 特別口座の口座管理機関	三菱UFJ信託銀行株式会社	(ご注意)	
同連絡先	三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部 東京都府中市日鋼町1-1 電話 0120-232-711(通話料無料) 郵送先 〒137-8081 新東京郵便局私書箱29号 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部	1. 株主様の住所変更、単元未満株式の買取請求、その他各種お手続きにつきましては、原則、口座を開設されている口座管理機関(証券会社等)で承ることとなっております。口座を開設されている証券会社等にお問合せください。株主名簿管理人(三菱UFJ信託銀行)ではお取り扱いできませんのでご注意ください。 2. 特別口座に記録された株式に関する各種お手続きにつきましては、三菱UFJ信託銀行が口座管理機関となっておりますので、左記特別口座の口座管理機関(三菱UFJ信託銀行)にお問合せください。なお、三菱UFJ信託銀行全国各支店にてもお取次ぎいたします。	



### ニュースリリースの メール配信サービスのご紹介

当社の最新ニュースリリース、IR情報などがメールでお知らせされるサービスです。  
当社ホームページ「株主・投資家情報」のリンクよりご登録いただけます。  
詳細はホームページのお申込ページをご覧ください。

## アンジェス株式会社

### 見通しに関する方針

本資料に記載されている業績予想・将来見通し等は、現時点で入手可能な情報に基づき当社が判断した予想・見通しであり、潜在的なリスクや不確実性が含まれています。それらのリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの承認取得、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。様々な要因の変化により、実際の業績は記述している予想とは大きく異なる結果となる可能性があります。

