



平成25年12月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕(連結)

平成25年8月2日

上場会社名 アンジェス MG株式会社 上場取引所 東
 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 (氏名) 山田 英
 問合せ先責任者 (役職名) 経理部長 (氏名) 米尾 哲治 (TEL) 03-5730-2753
 四半期報告書提出予定日 平成25年8月12日 配当支払開始予定日 —
 四半期決算補足説明資料作成の有無 : 有
 四半期決算説明会開催の有無 : 有 (機関投資家・アナリスト向け)

(百万円未満切捨て)

1. 平成25年12月期第2四半期の連結業績 (平成25年1月1日～平成25年6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	%
25年12月期第2四半期	314	9.2	△632	—	△629	—	△652	—
24年12月期第2四半期	288	133.0	△954	—	△890	—	△893	—

(注) 包括利益 25年12月期第2四半期 △459百万円(—%) 24年12月期第2四半期 △1,015百万円(—%)

	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
25年12月期第2四半期	△2,257.41	—
24年12月期第2四半期	△3,638.59	—

(注) 当社は、平成25年7月1日付で普通株式1株につき2株の株式分割を行っております。前連結会計年度の期首に当該株式分割が行われたと仮定して1株当たり四半期純利益及び潜在株式調整後1株当たり四半期純利益を算定しております。

(2) 連結財政状態

	総資産		純資産		自己資本比率
	百万円	百万円	百万円	百万円	%
25年12月期第2四半期	4,464	3,863	3,863	3,863	82.8
24年12月期	2,260	1,738	1,738	1,738	70.0

(参考) 自己資本 25年12月期第2四半期 3,695百万円 24年12月期 1,581百万円

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
24年12月期	—	0.00	—	0.00	0.00
25年12月期	—	0.00	—	—	—
25年12月期(予想)	—	—	—	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無 : 無

3. 平成25年12月期の連結業績予想 (平成25年1月1日～平成25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	350～450	—	△1,200～ △900	—	△1,200～ △900	—	△1,300～ △1,000	—	△4,325.70～ △3,327.46

(注) 直近に公表されている業績予想からの修正の有無 : 無

※ 注記事項

(1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動 : 無
 (連結範囲の変更を伴う特定子会社の異動)
 新規 社 (社名) 、 除外 社 (社名)

(2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用 : 無

(3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更 : 有
- ② ①以外の会計方針の変更 : 無
- ③ 会計上の見積りの変更 : 有
- ④ 修正再表示 : 無

(注) 「四半期連結財務諸表の用語、様式及び作成方法に関する規則」第10条の5に該当するものであります。詳細は、添付資料P.4「2. サマリー情報 (注記事項) に関する事項 (3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示」をご覧ください。

(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)	25年12月期2Q	306,126株	24年12月期	262,260株
② 期末自己株式数	25年12月期2Q	—株	24年12月期	—株
③ 期中平均株式数 (四半期累計)	25年12月期2Q	289,010株	24年12月期2Q	245,695株

(注) 当社は、平成25年7月1日付で普通株式1株につき2株の株式分割を行っております。前連結会計年度の期首に当該株式分割が行われたと仮定して発行済株式数 (普通株式) を算定しております。

※ 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、この四半期決算短信の開示時点において、四半期連結財務諸表に対する四半期レビュー手続が実施中です。

※ 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、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、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P.3「1. 当四半期決算に関する定性的情報 (3) 連結業績予想に関する定性的情報」をご覧ください。

当社は、平成25年8月5日に機関投資家及びアナリスト向けの四半期決算説明会を開催する予定です。その模様及び説明内容 (音声) については、当日使用する決算説明資料とともに、開催後速やかに当社ホームページに掲載する予定です。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算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	3
(3) 連結業績予想に関する定性的情報	3
2. サマリー情報(注記事項)に関する事項	4
(1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動	4
(2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用	4
(3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示	4
3. 継続企業の前提に関する重要事象等の概要	5
4. 四半期連結財務諸表	6
(1) 四半期連結貸借対照表	6
(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書	8
四半期連結損益計算書	8
四半期連結包括利益計算書	9
(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書	10
(4) 継続企業の前提に関する注記	12
(5) セグメント情報等	12
(6) 株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記	12
(7) 重要な後発事象	13
5. 補足情報	14
(1) 研究開発活動	14

1. 当四半期決算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2四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2四半期連結累計期間の事業収益は3億14百万円(前年同期比26百万円(+9.2%)の増収)となりました。当社グループでは、NF- κ Bデコイオリゴのアトピー性皮膚炎領域につき、提携企業からの開発協力金を研究開発事業収益として計上しております。また、ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の販売収入につきまして、商品売上高に計上しております。さらに、NF- κ B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、研究開発事業収益に計上しております。

当第2四半期連結累計期間においては、商品売上高が1億14百万円(前年同期比9百万円(+9.5%)の増収)、研究開発事業収益は1億93百万円(前年同期比15百万円(+9.0%)の増収)、製品売上高が7百万円(前年同期比0百万円(+8.9%)の増収)となっております。

当第2四半期連結累計期間における事業費用は、9億47百万円(前年同期比2億94百万円(△23.7%)の減少)となりました。内訳は、売上原価が53百万円(前年同期比5百万円(+10.8%)の増加)、研究開発費は5億25百万円(前年同期比2億10百万円(△28.6%)の減少)、販売費及び一般管理費は3億68百万円(前年同期比89百万円(△19.6%)の減少)となっております。

当第2四半期連結累計期間における事業収益は、3億14百万円(前年同期比26百万円(+9.2%)の増収)となりました。これは、主に塩野義製薬株式会社からのマイルストーン収入の発生によるものです。

当第2四半期連結累計期間における売上原価は、53百万円(前年同期比5百万円(+10.8%)の増加)となりました。これは、主に前年同期と比べて商品売上高が増加していることに伴うものです。

当第2四半期連結累計期間における研究開発費は5億25百万円(前年同期比2億10百万円(△28.6%)の減少)となりました。主に、前年度において計上していた外注試験費用が当期では減少したため、外注費が1億20百万円減少しております。また、人員の減少により、給料手当が38百万円減少しております。当社グループのような研究開発型バイオベンチャー企業にとって研究開発は生命線でありますので、提携戦略により財務リスクの低減を図りながら、今後も研究開発投資を行っていく予定です。研究開発の詳細については、本決算短信「5. 補足情報(1) 研究開発活動」をご参照ください。

当第2四半期連結累計期間における販売費及び一般管理費は3億68百万円(前年同期比89百万円(△19.6%)の減少)となりました。人員の減少により、役員報酬が23百万円、給料手当が42百万円減少しております。

この結果、当第2四半期連結累計期間の営業損失は6億32百万円(前年同期の営業損失は9億54百万円)となり、前年同期より3億21百万円縮小しております。

当第2四半期連結累計期間の経常損失は、6億29百万円(前年同期の経常損失は8億90百万円)となりました。前年同期と比べると、営業外収益において、補助金収入が36百万円減少しております。営業外費用においては、新株予約権の行使及び第三者割当増資による新株の発行に伴い、株式交付費が14百万円増加しております。投資事業組合運用損益については、当期において、投資収益が発生しなかったため、投資事業組合運用損1百万円となっております。また、円安の進行に伴って、為替差損が3百万円増加して6百万円となっております。

当第2四半期連結累計期間の四半期純損失は、6億52百万円(前年同期の四半期純損失は8億93百万円)となり、前年同期より2億41百万円縮小しております。平成25年1月31日付で連結子会社ジェノミ

ディア株式会社の全株式を譲渡したことに伴い、特別利益において、子会社株式売却益9百万円を計上しております。また、失効した新株予約権を戻し入れたことに伴い、新株予約権戻入益が11百万円発生し、前年同期と比べて2百万円増加しております。特別損失においては、希望退職制度の実施に伴い、経営合理化費用として特別退職金及び再就職支援費用39百万円を計上しております。

(2) 連結財政状態に関する定性的情報

当第2四半期連結会計期間末の総資産は44億64百万円(前連結会計年度末比22億4百万円の増加)となりました。第三者割当増資及び新株予約権の行使により現預金が11億50百万円、有価証券が7億99百万円増加し、流動資産は20億75百万円増加しております。また、保有する株式の評価額の上昇に伴い、投資その他の資産が1億68百万円増加しております。

当第2四半期連結会計期間末の負債は6億1百万円(前連結会計年度末比79百万円の増加)となりました。商品仕入に伴い、買掛金が1億74百万円増加しております。

純資産は38億63百万円(前連結会計年度末比21億25百万円の増加)となりました。第三者割当増資及び新株予約権の行使に伴い、資本金及び資本剰余金がそれぞれ12億86百万円増加しております。また、当四半期純損失6億52百万円の計上により利益剰余金が減少し、保有する株式の評価額の上昇に伴いその他有価証券評価差額金が1億71百万円増加しております。

(3) 連結業績予想に関する定性的情報

当社グループの連結業績予想につきましては、医薬品開発の進捗状況等に依存する度合いが高く、現時点では不確実性が高いため、医薬品開発の進捗や新たな契約締結の可能性などを考慮し、開示する予想数値に幅を持たせております。そのため、平成25年12月期の連結業績予想については、平成25年2月7日に公表しましたとおり、事業収益350～450百万円、営業利益△1,200～△900百万円、経常利益△1,200～△900百万円、当期純利益△1,300～△1,000百万円を見込んでおり、変更はございません。

なお、当社グループは第2四半期連結累計期間における業績予想の開示は行っておりません。

2. サマリー情報(注記事項)に関する事項

(1) 当四半期連結累計期間における重要な子会社の異動

該当事項はありません。

(2) 四半期連結財務諸表の作成に特有の会計処理の適用

該当事項はありません。

(3) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

(会計上の見積りの変更と区別することが困難な会計方針の変更)

当社及び国内連結子会社は、法人税法の改正に伴い、当第1四半期連結会計期間より、平成25年1月1日以後に取得した有形固定資産については、改正後の法人税法に基づく減価償却の方法に変更しております。

この変更による影響は軽微であります。

3. 継続企業の前提に関する重要事象等の概要

継続企業の前提に関する重要事象等の解消について

当社グループは、前連結会計年度末において、継続的なキャッシュ・フローのマイナス及び主要な研究開発活動を推進するだけの十分な資金を有していないことから、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせるような状況が存在しておりました。

当該事象を解消するため、当社グループは経営合理化策等によりコスト削減に努めてまいりました。また、資金面においても、当第2四半期連結累計期間において第三者割当増資及び行使価額修正条項付新株予約権の行使により合計25億65百万円の資金調達を行いました。

以上により、当第2四半期連結会計期間末現在において、当社グループの資金面での安定性が増し、主要な研究開発活動を推進する当面の目途が立ったことから、継続企業の前提に重要な疑義を生じさせる状況は解消されたと判断しております。

また、「重要な後発事象 2. 行使価額修正条項付新株予約権の行使」に記載のとおり、平成25年7月においても8億30百万円の資金調達を行っております。

4. 四半期連結財務諸表
 (1) 四半期連結貸借対照表

(単位：千円)

	前連結会計年度 (平成24年12月31日)	当第2四半期連結会計期間 (平成25年6月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	354,778	1,505,110
売掛金	104,097	195,301
有価証券	—	799,730
商品	83,174	179,199
製品	11,836	—
原材料及び貯蔵品	553,186	529,958
仕掛品	2,745	—
前渡金	147,366	118,695
前払費用	23,942	19,198
立替金	35,919	45,992
その他	25,411	24,631
流動資産合計	1,342,459	3,417,819
固定資産		
有形固定資産		
建物	71,520	52,643
減価償却累計額	△58,823	△42,805
建物(純額)	12,697	9,837
機械及び装置	52,084	1,603
減価償却累計額	△52,084	△1,602
機械及び装置(純額)	0	0
工具、器具及び備品	410,420	281,072
減価償却累計額	△377,802	△259,982
工具、器具及び備品(純額)	32,617	21,090
有形固定資産合計	45,315	30,927
無形固定資産		
特許権	100,326	76,061
その他	2,350	1,922
無形固定資産合計	102,676	77,983
投資その他の資産		
投資有価証券	680,759	860,257
敷金及び保証金	53,179	40,638
その他	35,838	37,203
投資その他の資産合計	769,777	938,099
固定資産合計	917,769	1,047,011
資産合計	2,260,229	4,464,830

(単位：千円)

	前連結会計年度 (平成24年12月31日)	当第2四半期連結会計期間 (平成25年6月30日)
負債の部		
流動負債		
買掛金	66,871	241,220
未払金	51,072	58,062
未払費用	17,792	9,913
未払法人税等	24,117	24,686
前受金	331,472	232,377
預り金	13,162	9,911
資産除去債務	2,323	—
流動負債合計	506,811	576,173
固定負債		
繰延税金負債	—	9,921
資産除去債務	14,855	14,991
固定負債合計	14,855	24,912
負債合計	521,666	601,086
純資産の部		
株主資本		
資本金	9,848,427	11,135,381
資本剰余金	8,159,167	9,446,121
利益剰余金	△16,648,733	△17,301,147
株主資本合計	1,358,862	3,280,354
その他の包括利益累計額		
その他有価証券評価差額金	259,373	431,021
為替換算調整勘定	△36,280	△15,382
その他の包括利益累計額合計	223,092	415,639
新株予約権	156,606	167,749
純資産合計	1,738,562	3,863,743
負債純資産合計	2,260,229	4,464,830

(2) 四半期連結損益計算書及び四半期連結包括利益計算書
四半期連結損益計算書
第2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年1月1日 至平成24年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年1月1日 至平成25年6月30日)
事業収益		
商品売上高	104,369	114,332
製品売上高	6,901	7,513
研究開発事業収益	177,195	193,066
事業収益合計	288,466	314,912
事業費用		
売上原価	48,495	53,739
研究開発費	735,534	525,410
販売費及び一般管理費	458,439	368,747
事業費用合計	1,242,469	947,898
営業損失(△)	△954,002	△632,986
営業外収益		
受取利息	365	104
投資事業組合運用益	3,076	—
補助金収入	63,132	26,445
業務受託料	301	301
雑収入	714	1,880
その他	—	57
営業外収益合計	67,591	28,791
営業外費用		
株式交付費	1,329	15,979
投資事業組合運用損	—	1,807
為替差損	2,387	6,378
雑損失	39	662
営業外費用合計	3,757	24,827
経常損失(△)	△890,168	△629,022
特別利益		
新株予約権戻入益	9,125	11,542
子会社株式売却益	—	9,045
特別利益合計	9,125	20,588
特別損失		
事務所移転費用	8,180	—
経営合理化費用	—	39,547
特別損失合計	8,180	39,547
税金等調整前四半期純損失(△)	△889,223	△647,981
法人税、住民税及び事業税	4,760	4,433
法人税等合計	4,760	4,433
少数株主損益調整前四半期純損失(△)	△893,983	△652,414
四半期純損失(△)	△893,983	△652,414

四半期連結包括利益計算書
第2四半期連結累計期間

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年1月1日 至平成24年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年1月1日 至平成25年6月30日)
少数株主損益調整前四半期純損失(△)	△893,983	△652,414
その他の包括利益		
その他有価証券評価差額金	△124,036	171,648
為替換算調整勘定	2,714	20,897
その他の包括利益合計	△121,321	192,546
四半期包括利益	△1,015,305	△459,868
(内訳)		
親会社株主に係る四半期包括利益	△1,015,305	△459,868
少数株主に係る四半期包括利益	—	—

(3) 四半期連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年1月1日 至平成24年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年1月1日 至平成25年6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(△)	△889,223	△647,981
減価償却費	49,592	33,123
受取利息	△365	△104
為替差損益(△は益)	101	△1,426
固定資産売却損益(△は益)	—	△57
投資事業組合運用損益(△は益)	△2,878	2,005
子会社株式売却損益(△は益)	—	△9,393
株式交付費	1,329	15,979
株式報酬費用	13,553	3,612
新株予約権戻入益	△9,125	△11,542
経営合理化費用	—	38,445
売上債権の増減額(△は増加)	△17,892	△96,399
たな卸資産の増減額(△は増加)	△50,375	△62,765
仕入債務の増減額(△は減少)	94,541	174,349
前渡金の増減額(△は増加)	125,114	30,065
未払金の増減額(△は減少)	△4,855	17,030
前受金の増減額(△は減少)	△128,847	△61,944
その他の流動資産の増減額(△は増加)	24,692	△4,401
その他の固定資産の増減額(△は増加)	—	△4,305
その他の流動負債の増減額(△は減少)	△1,212	△6,790
その他の固定負債の増減額(△は減少)	133	135
小計	△795,717	△592,367
利息の受取額	456	104
経営合理化費用の支払額	—	△34,856
法人税等の支払額	△6,932	△4,558
営業活動によるキャッシュ・フロー	△802,193	△631,678
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	△5,689	△8,533
無形固定資産の取得による支出	△9,873	△1,468
連結の範囲の変更を伴う子会社株式の売却による支出	—	△16,351
長期前払費用の取得による支出	△1,852	△3,598
敷金及び保証金の差入による支出	△319	△75
敷金及び保証金の回収による収入	1,279	12,666
その他の収入	—	955
投資活動によるキャッシュ・フロー	△16,455	△16,406
財務活動によるキャッシュ・フロー		
株式の発行による収入	199,985	2,550,557
新株予約権の発行による収入	△187	26,900
財務活動によるキャッシュ・フロー	199,797	2,577,457

(単位：千円)

	前第2四半期連結累計期間 (自平成24年1月1日 至平成24年6月30日)	当第2四半期連結累計期間 (自平成25年1月1日 至平成25年6月30日)
現金及び現金同等物に係る換算差額	2,428	20,688
現金及び現金同等物の増減額(△は減少)	△616,422	1,950,061
現金及び現金同等物の期首残高	1,575,549	354,778
現金及び現金同等物の四半期末残高	959,127	2,304,840

(4) 継続企業の前提に関する注記

該当事項はありません。

(5) セグメント情報等

前第2四半期連結累計期間(自 平成24年1月1日 至 平成24年6月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

当第2四半期連結累計期間(自 平成25年1月1日 至 平成25年6月30日)

当社及び連結子会社は「医薬品事業」並びにこれらに関連する事業内容となっており、事業区分が単一セグメントのため、記載を省略しております。

(6) 株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記

当社は、平成25年3月11日付で、株式会社夢真ホールディングス、株式会社夢テクノロジー、A-1 合同会社から第三者割当増資の払込みを受けました。また、メリルリンチ日本証券株式会社、野村証券株式会社及び従業員から、新株予約権の行使による払込みを受けております。この結果、当第2四半期連結累計期間において資本金が1,286,953千円、資本剰余金が1,286,953千円増加し、当第2四半期連結会計期間末において資本金が11,135,381千円、資本剰余金が9,446,121千円となっております。

	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25年1月1日残高(千円)	9,848,427	8,159,167	△16,648,733	1,358,862
四半期連結累計期間中の変動額				
新株の発行(第三者割当増資及び新株予約権の行使)	1,286,953	1,286,953		2,573,906
四半期純損失			△652,414	△652,414
四半期連結累計期間中の変動額合計(千円)	1,286,953	1,286,953	△652,414	1,921,492
平成25年6月30日残高(千円)	11,135,381	9,446,121	△17,301,147	3,280,354

(7) 重要な後発事象

1. 株式分割

当社は、平成25年5月21日付取締役会決議に基づき、平成25年7月1日付で株式分割を実施いたしました。

(1) 株式分割の目的

株式分割を実施することにより、当社株式の投資単位あたりの金額を引き下げ、当社株式の流動性を高めると共に、投資家層の更なる拡大を図ることを目的としております。

(2) 株式分割の概要

① 分割の方法

平成25年6月30日(日曜日)(ただし、前日及び当日は株主名簿管理人の休業日につき、実質上は平成25年6月28日(金曜日))を基準日とし、同日の最終の株主名簿に記載または記録された株主の所有する当社普通株式を1株につき2株の割合をもって分割いたしました。したがって、株式分割により増加する株式の総数の株式分割前の発行済株式総数に対する割合は1となります。

② 分割により増加した株式数

分割により増加した株式数は、平成25年6月30日(日曜日)の最終の発行済株式総数に1を乗じて得た数となります。

- (i) 株式分割前の発行済株式総数 153,063 株
- (ii) 株式分割により増加した株式数 153,063 株
- (iii) 株式分割後の発行済株式総数 306,126 株
- (iv) 株式分割後の発行可能株式総数 740,928 株

③ 日程

効力発生日 平成25年7月1日(月曜日)

なお、「1株当たり情報」は、当該株式分割が前連結会計年度の期首において行われたと仮定して算出しており、これによる影響については、当該箇所に記載しております。

2. 行使価額修正条項付新株予約権の権利行使

当社は、平成25年5月20日付でメリルリンチ日本証券株式会社に発行した行使価額修正条項付新株予約権の権利行使により、平成25年7月において以下の資金調達を実施いたしました。

- | | | |
|-----------------|---|----------------|
| 1. 資金調達額(払込額総額) | : | 830,540,000円 |
| 2. 増加した資本金 | : | 417,472,438円 |
| 3. 割当株式数 | : | 6,550株 |
| 4. 割当先 | : | メリルリンチ日本証券株式会社 |

5. 補足情報

(1) 研究開発活動

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、海外での重症虚血肢に対する承認取得を目的とした国際共同第Ⅲ相臨床試験の準備を進めております。本試験は既に米国FDA(米国食品医薬品局)とSPA(Special Protocol Assessment、特別プロトコル査定)の合意をしており、さらに平成22年9月には米国FDAからFast Track指定を取得いたしました。また、平成24年10月に田辺三菱製薬株式会社との間で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致しました。本契約により当社は、契約一時金と開発の進捗に応じたマイルストーンの支払いを受けることになり、さらに上市後は売上高に応じた一定の対価を受領致します。

また、当該第Ⅲ相臨床試験の成功確度をさらに向上させることを目的に米国FDAと臨床試験プロトコルの改訂協議を行い、本年3月にSPAの改定に合意しました。さらに、この新たな治験プロトコルでのフィービリティ(実施可能性)を確認する目的で、少数例を対象としたオープンラベル試験を計画し、本年5月に治験プロトコルをFDAに提出いたしました。当社は、引き続き国際共同第Ⅲ相臨床試験の開始に向け準備を進めるとともに、臨床開発を迅速にかつ確実に推進してまいります。

また、コラテジェン®にはリンパ管の新生という新たな薬理作用があることが確認されました。この作用は、リンパ管の障害によりリンパ流が停滞して手足等が腫れる疾患である「リンパ浮腫」に対する画期的な治療薬として期待されます。リンパ浮腫は、根本的な治療方法がないため治療充足度が極めて低いとされている疾患です。当社はコラテジェン®をリンパ浮腫に対する初めての根治療法としての開発を目指しています。これまで末梢性血管疾患を対象とした臨床試験においてコラテジェン®の人体への投与実績で良好な安全性を確認しており、臨床試験の初期段階においては比較的迅速に臨床開発を進めることができると期待されます。コラテジェン®は遺伝子治療用医薬品であるため、「遺伝子治療用医薬品の品質及び安全性の確保に関する指針」への適合確認を申請し、昨年7月に厚生労働省から本指針に対する適合確認通知を受領しており、同月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構に対し、原発性リンパ浮腫患者を対象とした第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験の治験計画届書を提出いたしました。また、本年5月には独立行政法人新エネルギー・産業技術開発機構(NEDO)の「平成24年度イノベーション実用化ベンチャー支援事業」に「HGF プラスミドによるリンパ浮腫治療薬の実用化開発」が採択されました。本助成事業では、平成25年4月30日から平成26年2月20日における開発費用の3分の2相当額を助成金として受領する予定です。

NF- κ Bデコイオリゴについては、平成22年12月に塩野義製薬株式会社との間でNF- κ Bデコイオリゴのアトピー性皮膚炎適応に関する共同開発及び全世界における独占的な販売権許諾に合意致しました。本契約においての許諾対象はアトピー性皮膚炎に限らず、欧米に患者数の多い尋常性乾癬など、外用剤により治療する皮膚疾患全般が含まれております。

また、平成23年3月に、NF- κ Bデコイオリゴを使用した外用剤の皮膚浸透性を一層改善することが可能となる製剤技術を株式会社メドレックスより導入いたしました。この技術によりNF- κ Bデコイオリゴの皮膚透過性を従来の軟膏製剤と比べ数十倍程度向上することが可能となり、より広範囲の炎症性皮膚疾患への応用が期待されます。

塩野義製薬株式会社との共同開発においては、上記の新製剤を用いた非臨床試験の結果を踏まえ、独立行政法人医薬品医療機器総合機構に対し、アトピー性皮膚炎治療薬の第I相臨床試験に関する治験計画届書が提出され、本年6月には、第I相臨床試験が開始されました。

NF- κ Bデコイオリゴの新たな適用疾患として、日本臓器製薬株式会社と椎間板性腰痛症を含む腰痛疾患を適応症とした日本における独占的開発販売権許諾契約を本年3月に締結致しました。NF- κ Bデコイオリゴは慢性腰痛に対する鎮痛効果と共に、椎間板変性に対しても有効な可能性がある新しいタイプの腰痛治療薬として期待されます。今後、本治療薬の承認取得に向けて、当社はNF- κ Bデコイオリゴの供給及び関連データの提供を担当し、日本臓器製薬株式会社が製剤製造や臨床試験などを進めます。当社は本契約により、契約一時金とマイルストーン、及び売上に応じたロイヤリティを受領します。

NF- κ BデコイオリゴをPTAバルーンカテーテルの外表面に塗布した新規医療機器の開発については、平成24年1月にメディキット株式会社と国内の治験から上市に渡る共同開発および製造販売に関する契約を締結しました。本製品はバルーン拡張による血管炎症や再狭窄を抑制することが期待され、世界で初めての抗炎症薬塗布型のPTAバルーンカテーテルを目指して開発中です。末梢血管内治療法においては、現在使用されているPTAバルーンカテーテルでは再狭窄率が高く、医療現場において再狭窄予防が期待できるPTAバルーンカテーテルの開発が強く望まれております。本製品は、既存のPTAバルーンカテーテルに再狭窄抑制という新しい機能が付加されることにより、再狭窄までの期間延長や外科的バイパス手術の回避が期待でき、患者様のQOL向上が見込まれます。

また、透析シャントの血管狭窄を有する被験者を対象とした臨床試験を開始するため、平成24年3月に独立行政法人医薬品医療機器総合機構に治験計画届書を提出いたしました。今後は臨床試験を進め、早期の承認取得、上市を目指してまいります。

さらに、NF- κ 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。

抗菌作用を有する機能性ペプチド「キュアペプチン®」を応用した新製品の開発に関しては、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、同社のヘルスケア分野における強みを生かして傷あて材などの応用製品開発の検討を進めています。

当社は、平成23年12月に韓国のBioLeaders Corporation (バイオリーダース)、沖縄 (現在は大阪) の株式会社ジェノラックBLと子宮頸部上皮内腫瘍性病変(CIN)の治療ワクチン(CIN治療ワクチン)について国内外の開発、製造、使用および販売の独占的実施権許諾に関するオプション権についての基本契約を締結していましたが、平成25年4月3日にオプション権を行使し、独占的実施権許諾に関するライセンス契約を締結しました。現在、世界各国で発売中の子宮頸がん予防ワクチンは、ヒトパピローマウイルス(HPV)の感染予防を目的としたワクチンでありHPV既感染者に対して癌化を防ぐような有効性は得られません。一方、当社が開発するCIN治療ワクチンは、HPVのE7蛋白質に対する特異的な細胞性免疫を子宮頸部へ効率的に誘導することで子宮頸部の高度異形性を消失させ、子宮頸がんへの移行を回避できる画期的な世界初の治療ワクチンとして期待されます。このCIN治療ワクチンの安全性と有効用量を検証するため、2009年より東京大学附属病院において探索的臨床試験(ステップ1)が行われました。その結果、1日4カプセル群において全例で子宮頸がん前がん病変

CIN3（子宮頸がん前がん病変）が退縮し、円錐切除手術を回避できることが確認されました。また全例において安全性に問題なかったことから、引き続き1日4カプセル群の症例数を追加した探索的臨床試験（ステップ2）が進められた結果、ステップ2においても有効性および安全性についてステップ1の再現性が確認でき、本治療ワクチンの有用性が改めて確認されました。今後、さらに探索的臨床試験を進めることで、本治療ワクチンの有効性と安全性を検討して参ります。

転移性メラノーマ治療薬Allovectin®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相臨床試験として、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。平成22年2月に全症例登録を完了致し、平成22年9月には米国FDAからFast Track指定を取得いたしました。現在は評価項目の一つである全生存期間の改善効果を確認するため、治験全体の総死亡発生数の集計を行っており、バイカル社は目標数に達した時点で統計学的解析に基づく有効性評価を行う予定であります。バイカル社は目標の総死亡発生数の到達時期を平成25年半ばとしており、第Ⅲ相臨床試験の主要結果は第3四半期中に公表が行われる予定です。

転移性メラノーマは進行が早く生存率が低い難病のため、治療効果が明確で安全性に優れた治療薬が求められております。Allovectin®は、腫瘍細胞に特異的な細胞性免疫を賦活化（活性化）させることで、転移がん細胞も含めた全身の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癌治療ワクチンであり、安全性、有効性ともに優れた画期的な新薬として期待されています。

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	HGF遺伝子治療薬	重症虚血肢 (閉塞性動脈硬化症 及びバージャー病)	日本	第Ⅲ相準備中	第一三共株式会社 (販売権供与)
			米国		田辺三菱製薬株式会社 (販売権供与)
		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)
			米国	第Ⅰ相	未定
		パーキンソン病		前臨床	未定
		リンパ浮腫	日本	第Ⅰ/Ⅱ相準備中	未定
医薬品	NF-κBデコイオリゴ	アトピー性皮膚炎	日本	第Ⅱ相(軟膏剤)	塩野義製薬株式会社 (開発販売権供与)
			世界	第Ⅰ相*(新製剤)	
		椎間板性腰痛症	日本	前臨床	日本臓器製薬株式会社 (開発販売権供与)
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	日本	臨床試験	メディキット株式会社 (共同開発販売権供与) 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)

* 第Ⅰ相は国内で実施
(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® (遺伝子治療薬)	転移性メラノーマ	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

(導入開発品)

区分	製品名/プロジェクト	適応症	地域	開発段階	導入元	当社の権利
医薬品	CIN治療プロジェクト	子宮頸がん 前がん病変	日本 海外	研究者主導 探索的臨床試験	バイオリーダーズ (韓)	国内外の 開発販売権