



アンジェス株式会社

2018年12月期 決算説明会

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2019年2月4日

- ◆ 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、規制当局からの取得承認、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。

01

最新のトピックス

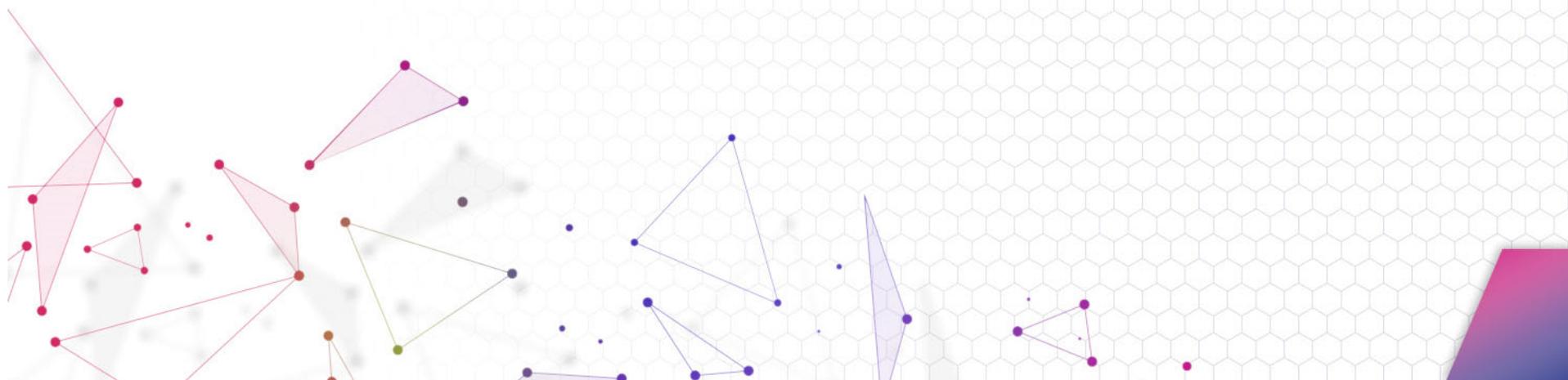


最新のトピックス

- HGF遺伝子治療薬【重症虚血肢】
 - ✓厚生労働省に対し再生医療等製品の製造販売承認申請（2018年1月22日）。現在当局対応中。
 - ✓一般的に申請から承認まで一年程度といわれていることから、本年中の承認を見込む。
- NF-κBデコイオリゴ【椎間板性腰痛症】
 - ✓第1 b相臨床試験を米国にて実施中。（2018年2月～）
- DNAワクチン【高血圧】
 - ✓第1 / 2相臨床試験をオーストラリアにて実施中。（2018年4月～）
- ナクラザイム【ムコ多糖型VI型治療薬】
 - ✓日本国内での製造販売承認及び販売をBioMarin Pharmaceutical Japan株式会社に承継予定。（2019年3月末日）
⇒3月末日以降も在庫のある間は当社にて販売。

02

2018年12月期 決算概要



2018年度 連結業績ハイライト



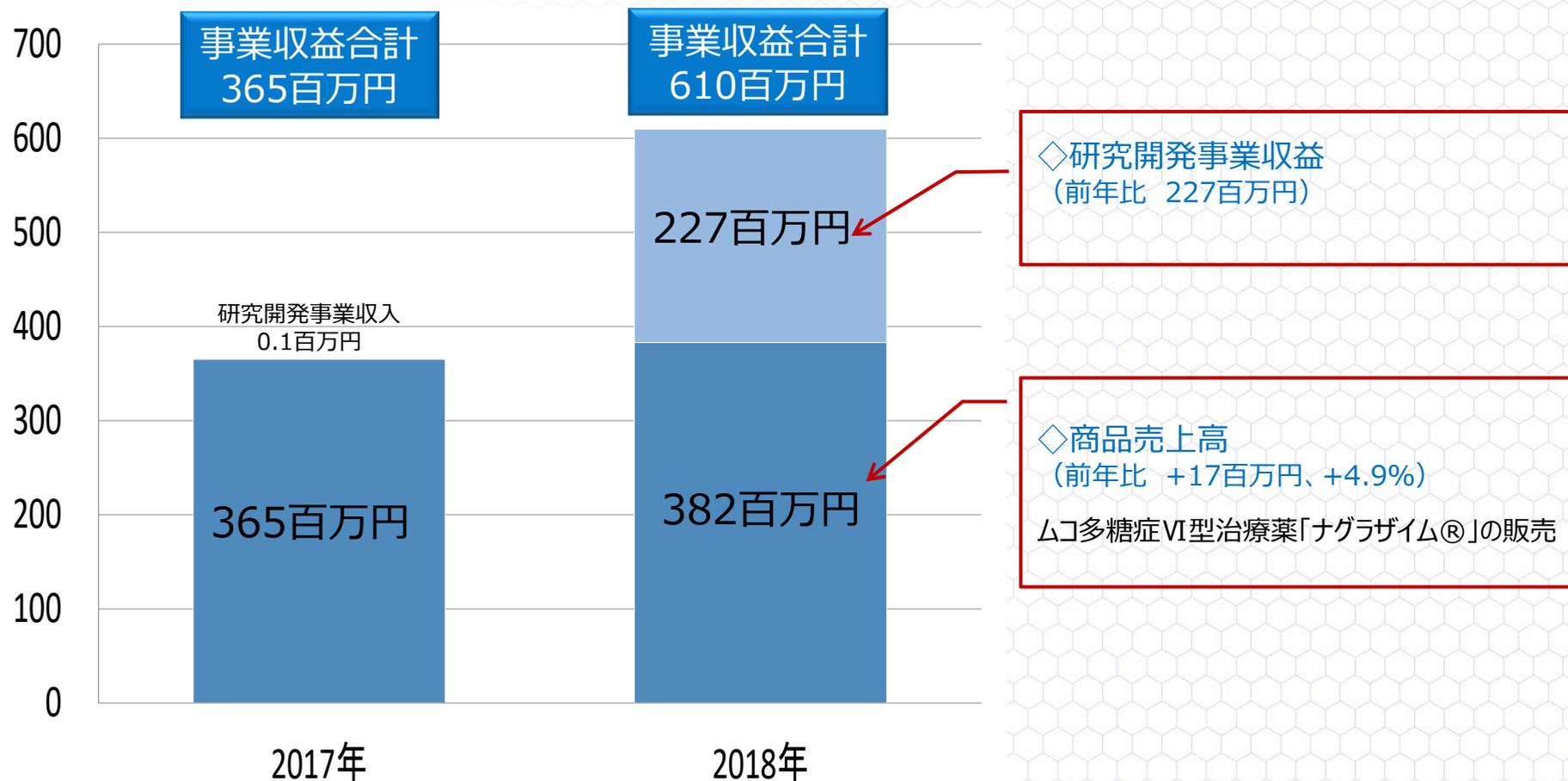
(単位：百万円)	2017年度	2018年度	増減額	増減の主な要因
事業収益	365	610	+244	◇事業収益（前年比167.1%） ナグラザイム売上382百万(前年比104.9%) 研究開発事業収入227百万(前年0.1百万) 詳細：P 7
事業費用	3,653	3,675	△21	◇事業費用（前年比100.6%） HGF遺伝子治療薬の国際共同第Ⅲ相 臨床試験費用の減少、廃棄及び評価替 による研究材料費の増加 詳細：P 8
営業損失（△）	△3,288	△3,065	+223	
営業外収支※	△18	△30	△12	◇営業外収支 ・補助金収入3百万円(前期－) ・株式交付費42百万円(前期25百万)
経常損失（△）	△3,307	△3,096	+210	
特別利益/損失※	△437	93	+530	◇特別利益/特別損失 ・投資有価証券売却益31百万 ・新株予約権戻入益62百万
当期純損失（△）	△3,764	△2,996	+768	

※：△は損失

事業収益の内容



(単位：百万円)



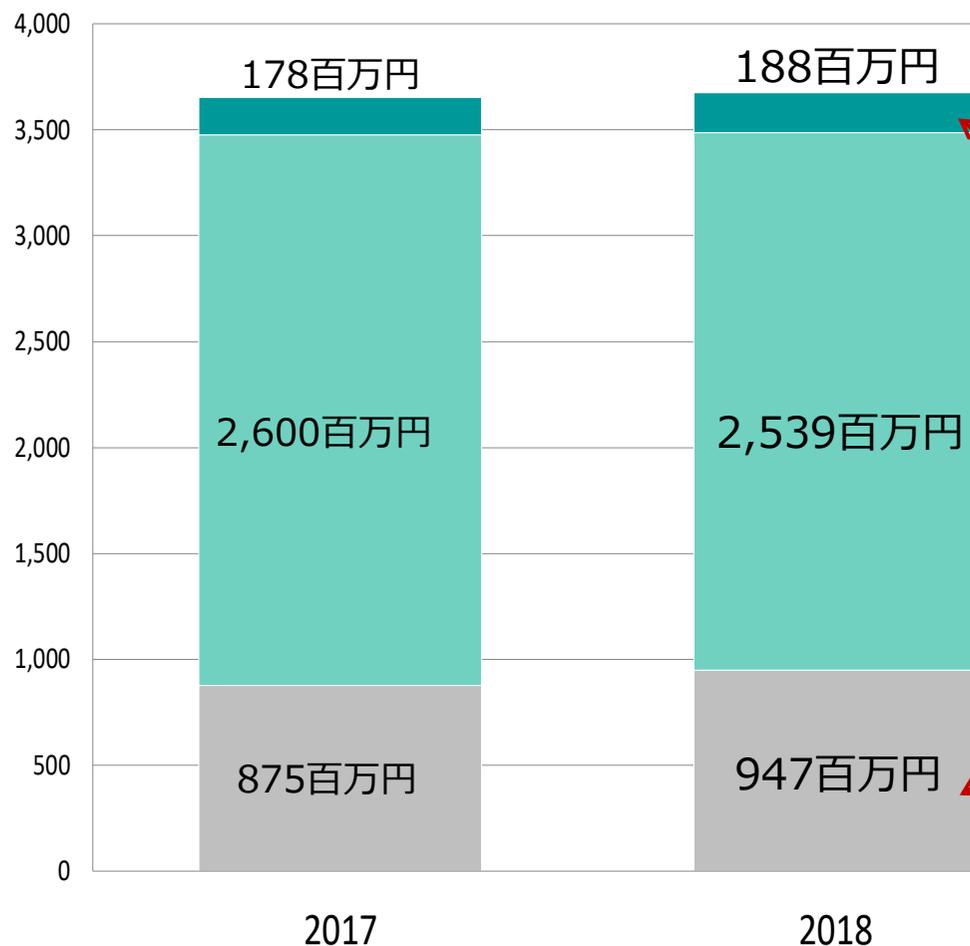
事業費用の内容



事業費用合計
3,653百万円

事業費用合計
3,675百万円

(単位：百万円)



◇売上原価
(前年比 +10百万円、+5.7%)
ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」の売上原価

◇研究開発費
(前年比 △60百万円、△2.3%)
HGF遺伝子治療薬にかかる臨床試験費用の減少により外注費△196百万円、人員の減少に伴い給与等△119百万円、評価替による研究材料費の増加により+403百万円等

◇販売費及び一般管理費
(前年比 +71百万円、+8.2%)
・租税公課 +50百万円 (増資に伴う法人事業税資本割の増加)

連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2017年12月末	2018年12月末	増減額
流動資産	3,433	7,542	+4,108
現金及び預金	1,147	5,784	+4,637
固定資産	530	508	△21
総資産	3,963	8,050	+4,087
負債合計	341	316	△25
純資産	3,621	7,734	+4,112

(2018年度に実施した資金調達)

第31回新株予約権（第三者割当て/ 行使価額修正条項付） 割当先：リーディング証券 2018年8月で完了	4,475 百万円 (5,050百万※) ※払込累計額	<ul style="list-style-type: none"> ・HGF遺伝子治療薬の米国における新たな臨床試験の実施に関連して必要となる費用 ・運転資金
第33回新株予約権（第三者割当て/ 行使価額修正条項付） 割当先：三田証券	2,847 百万円	<ul style="list-style-type: none"> ・開発品パイプラインの拡充 ・国内におけるHGF 遺伝子治療薬の製造販売後調査の実施試験の実施 ・運転資金

2019年度通期業績見通し



(単位：百万円)

	事業収益	営業利益	経常利益	当期純利益
2019年度通期 (予想)	335	△2,800	△2,800	△2,800
2018年度通期 (実績)	610	△3,065	△3,096	△2,996

➤ 主な変動要因

- ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」販売については、Bio Marin Pharmaceutical Japan 株式会社への承継による減少見込む。
- 国内におけるHGF遺伝子治療薬については提携先の田辺三菱製薬株式会社からのマイルストーン及びロイヤリティ収入の発生を見込む。
- HGF遺伝子治療薬の国内における市販後調査にかかる費用等の発生により販売費及び一般管理費の増加。
- 2018年度に計上した原材料の評価減が発生しないことなどから研究開発費が減少。

➤ 2015年発表「2025年ビジョン」の一部修正について

- 「2025年ビジョン」のうち「2019年を目途に黒字化」及び「2025年に売上高500億円以上」についてはいったん取り下げ。
- 米国によるHGF遺伝子治療薬の進展状況等がビジョン策定時より遅れていることなどが要因。

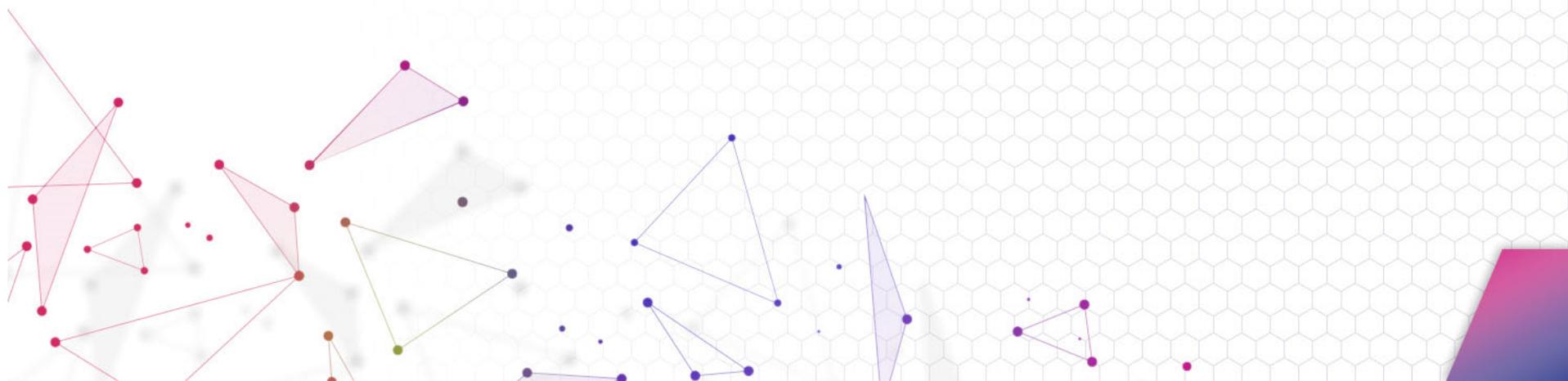
2018年9月25日発表

第33回新株予約権（第三者割当て）発行による資金調達

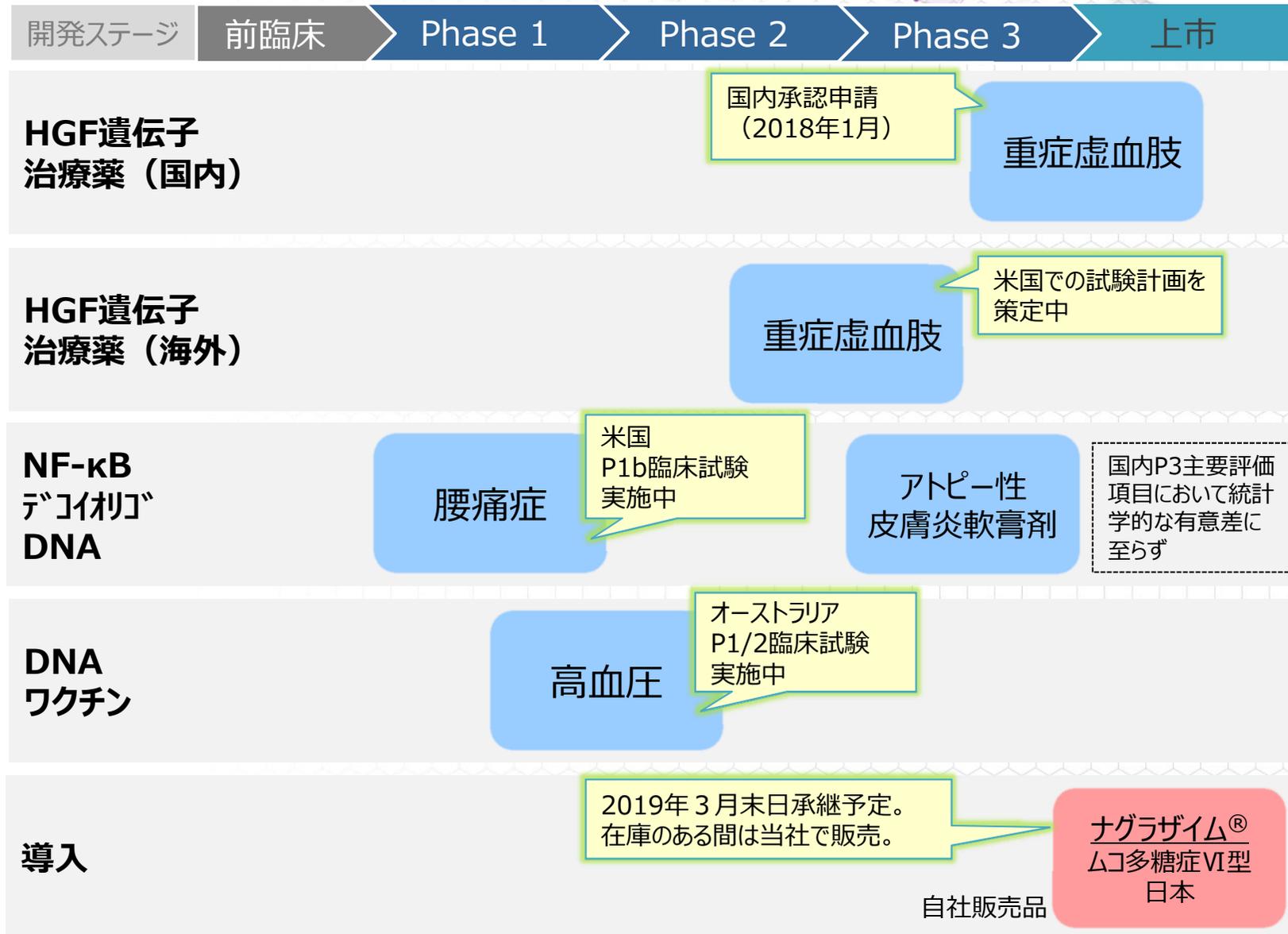
- 対象株数：16,000,000株
- 当初行使価額：590円（行使価額修正条項付）
- 調達額：約95億円
 - ※新株予約権の払込総額（64,800,000円）を含む。当初行使価額590円での概算額
- 割当先：三田証券株式会社
- 資金使途：
 - ・開発パイプラインの拡充
 - ・国内におけるHGF遺伝子治療薬の製造販売後調査の実施
 - ・運転資金の一部

03

開発プロジェクトの進捗状況



臨床開発ステージにあるプロジェクトの状況



■ 自社オリジン開発品

■ 導入開発品

HGF遺伝子治療薬 開発状況

HGF遺伝子をコードしたプラスミド製剤。
HGFは血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において重要な役割をもつ。

▶ 重症虚血肢

HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢、国内）



対象疾患 重症虚血肢

開発状況 2018年1月 厚生労働省に対し製造販売承認申請

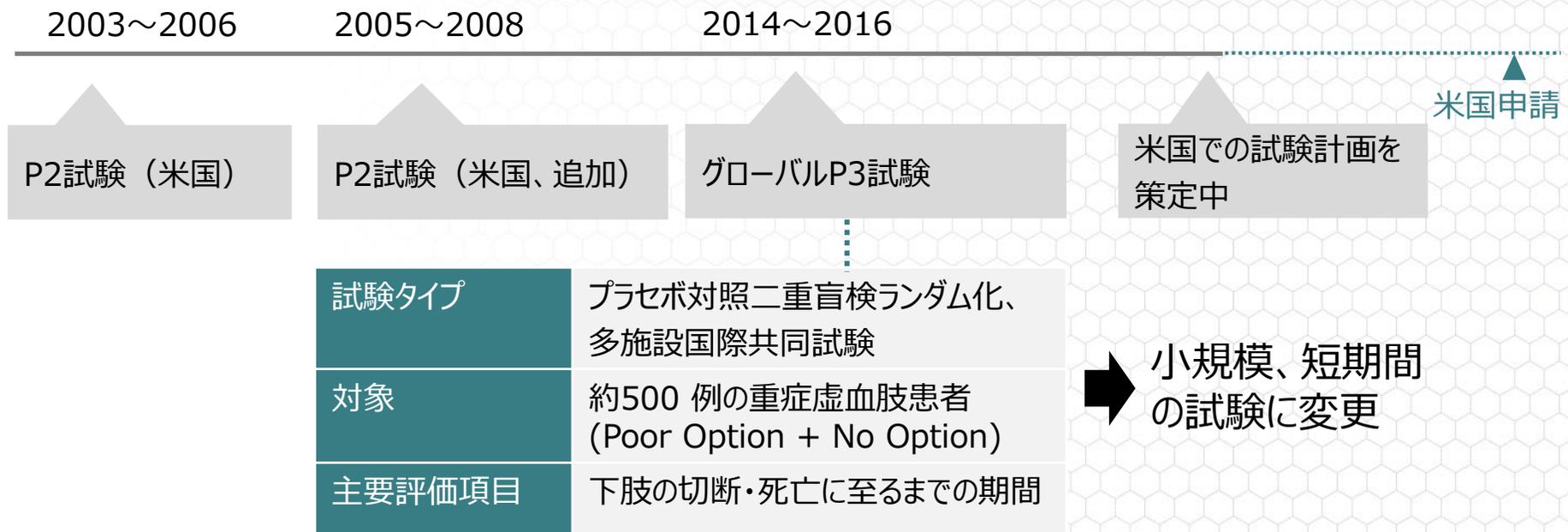


- 大阪大学医学部附属病院が主導となり、先進医療B制度を活用した医師主導型臨床研究を実施。
- 申請が可能となる結果を得ることが出来たことから2018年1月厚生労働省に対し製造販売承認申請。現在当局対応中。
一般的に申請から承認まで一年程度といわれていることから、本年中の承認を見込む。
- 2015年6月に田辺三菱製薬と国内の末梢性血管疾患を対象とする独占的販売権許諾契約を締結。

HGF遺伝子治療薬（重症虚血肢、グローバル）



対象疾患	重症虚血肢
開発状況	米国での試験計画を策定中



- 米国での潜在患者数は年間50万人。
- そのうち、現在有効な治療選択肢がない患者を対象。

NF-κBデコイオリゴDNA 開発状況

生体内で免疫・炎症反応を担う転写因子NF-κBに対する特異的な阻害剤。
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治療薬として研究開発中。

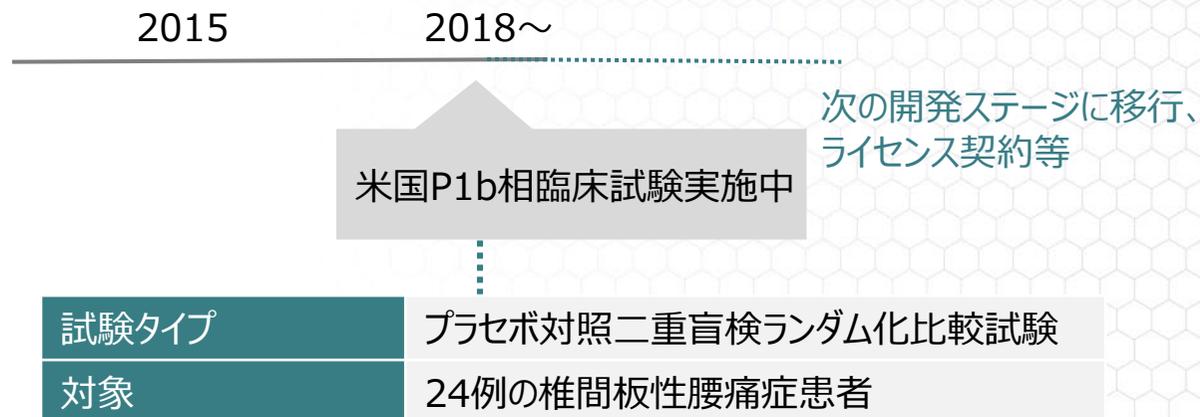
▶ 椎間板性腰痛症

次世代型デコイを開発中。

▶ キメラデコイ

NF-κBデコイオリゴDNA（椎間板性腰痛症治療薬）

対象疾患	椎間板性腰痛症
開発状況	米国P1b相臨床試験実施中（2018年2月～）



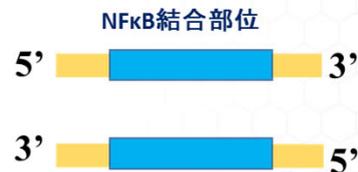
- 米国にて2018年2月よりP1b相臨床試験を開始。
⇒当初計画より若干遅れがあるものの特段の問題なく患者登録中。
- 米国を含め世界での市場規模が大きい。
- 米国では椎間板内注射による治療は一般的でこの手技に習熟している医師は多く、また患者数も多い。

次世代型「キメラデコイ」の開発

- 「STAT6」と「NF-κB」という炎症に関わる二つの重要な転写因子を同時に抑制する働きを持つため、従来のNF-κBデコイに比べ、炎症を抑える効果が格段に高いことが期待される。
- NF-κB デコイと比べ生体内の安定性に優れ、かつ生産コストが低い。

次世代型「キメラデコイ」開発の経緯

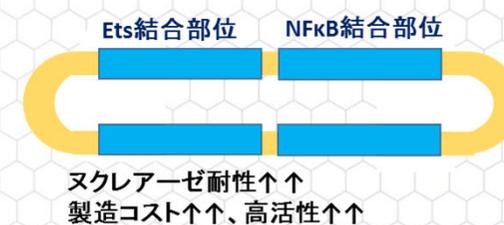
1. 従来型デコイ



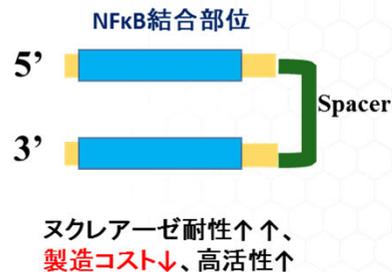
2. リボン型デコイ



3. リボン型キメラデコイ



4. ハイブリッドデコイ



5. キメラデコイ



DNAワクチン 開発状況

DNAを利用した治療ワクチン。
作用する期間が長いなど、既存のワクチンに比べ様々な
長所を持つ。潜在的な市場規模は大きい。

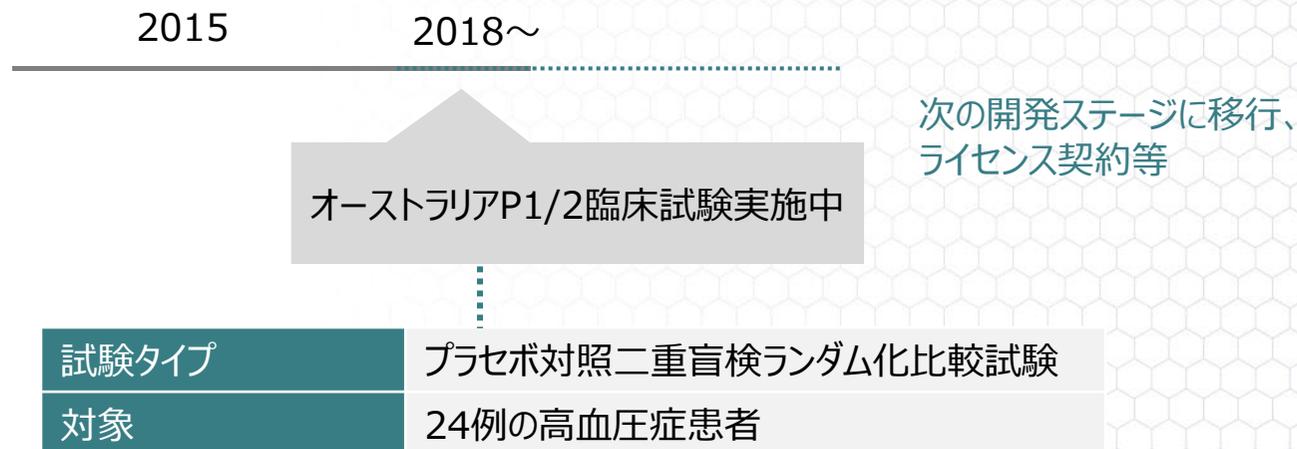
▶ 高血圧

高血圧DNAワクチン



対象疾患 高血圧

開発状況 オーストラリアP1/2臨床試験実施中（2018年4月～）



- オーストラリアにて2018年4月よりP1/2相臨床試験を開始。
⇒特段の問題はなく計画通りに患者登録中。
- 高血圧治療の医薬品市場は、国内だけで5,000億円以上。
発展途上国では薬価の高いARB（アンジオテンシンⅡ受容体拮抗薬）は医療経済上の問題から使用は限定的。

その他の開発プロジェクト

- ▶ 慢性B型肝炎
- ▶ エボラ出血熱抗血清製剤
- ▶ 急性呼吸窮迫症候群

慢性B型肝炎



対象疾患

慢性B型肝炎

開発状況

米Vical社との共同開発で動物実験を実施中

2017.4～

マウスを使った実験を共同で実施中

良い結果が得られた場合にはその後、次の段階に進むことを米Vical社との間で協議

- 米Vical社と慢性B型肝炎の治癒を目指した遺伝子治療薬を共同開発することを合意、契約を締結（2017年4月）。
- 持続的なウイルス感染者（キャリア）は、国内で130万人以上、世界で約3億5000万人。現在の標準的な治療法である抗ウイルス剤の投与は、ウイルスを完全に排除することができないため治癒には至らず、基本的には生涯にわたって薬剤を服用し続ける必要。
- 共同開発を行っている遺伝子治療薬は慢性B型肝炎の治癒を目的としたもの。現在、慢性B型肝炎を治癒する薬が存在していないため、大きな潜在市場。

エボラ出血熱抗血清製剤

エボラ出血熱の治療薬。DNAワクチンをウマに接種し、血清から抗体を精製して抗血清製剤を製造する。

対象疾患	エボラ出血熱
開発状況	動物試験の実施

- サスカチュワン大学※と共同で実施した動物実験（中間報告）において、抗血清を投与した群では対照群に比べ死亡や体重減が抑制されるという効果を確認（2017年12月発表）。
- 今後、さらに動物試験を実施し良好なデータを得られれば、製薬企業に導出あるいは権利売却。
- 米Vical社より国内の独占的開発販売権を取得済み。
- 罹患者の治療用、感染リスクの高い医療従事者等の携帯用、備蓄用等の緊急対策用の需要を想定。



エボラ出血熱ウイルス

Vasomune社との共同開発について

- Vasomune社が創製したTie 2 受容体アゴニスト化合物について、全世界を対象とした共同開発。開発費用、将来の収益をそれぞれ折半。
- 最初の適応疾患として重症の呼吸不全である急性呼吸窮迫症候群（ARDS）を想定した非臨床開発を実施、2年後をめどに臨床開発開始を目指す。POCを獲得した段階で導出することを想定。
- ARDSに対する根本的な治療薬はなく、有効な治療薬の開発が望まれている（高いアンメット・メディカル・ニーズ）。有効なARDS治療薬が開発できた場合の潜在的な事業機会は25億ドル以上と期待。将来は喘息など他の疾患にも共同開発を広げる可能性。
- 当社は、HGF遺伝子治療薬の開発を通じ血管疾患に関する知見とノウハウを蓄積。今回の共同開発ではそうした当社の強みを活かす。

今後の予定 (2019年)



- HGF遺伝子治療薬 (重症虚血肢、国内)
厚生労働省に対し製造販売承認申請済 (2018年1月)。承認に向け当局対応中。
一般論を当てはめ本年中の承認を見込む。
- HGF遺伝子治療薬 (重症虚血肢、米国)
新試験の設計に向け作業中。
- NF- κ Bデコイオリゴ (椎間板性腰痛)
米国にてP1b相臨床試験を実施中 (2018年2月～)。
当初計画より若干の遅れはあるものの特段の問題はなく患者登録中。
- DNAワクチン (高血圧)
オーストラリアにてP1/2相臨床試験を実施中 (2018年4月～)。
特段の問題はなく計画通りに患者登録中。



ご清聴ありがとうございました



<https://www.anges.co.jp>





「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指す創薬バイオベンチャー



アンジェス ホームページ
<https://www.anges.co.jp>