

AnGes REPORT

アンジェス株式会社
証券コード 4563

第20期
アンジェス通信
2018.1.1-2018.12.31



AnGes



日本初 HGF遺伝子治療薬の承認に向け全力で取り組んでまいります。

代表取締役社長 山田 英

【HGF遺伝子治療薬【重症虚血肢】

創業以来の主力プロジェクトの実現が大詰めに

2018年1月、厚生労働省に対して再生医療等製品*1の製造販売承認申請を行いました当社の主力プロジェクトである重症虚血肢を対象とした「HGF遺伝子治療薬」につきましては、引き続き審査が行われているところです(注:原稿作成時点において)。一般的に審査には1年程度かかるとされていることから、今年中の承認を見込んでおります。

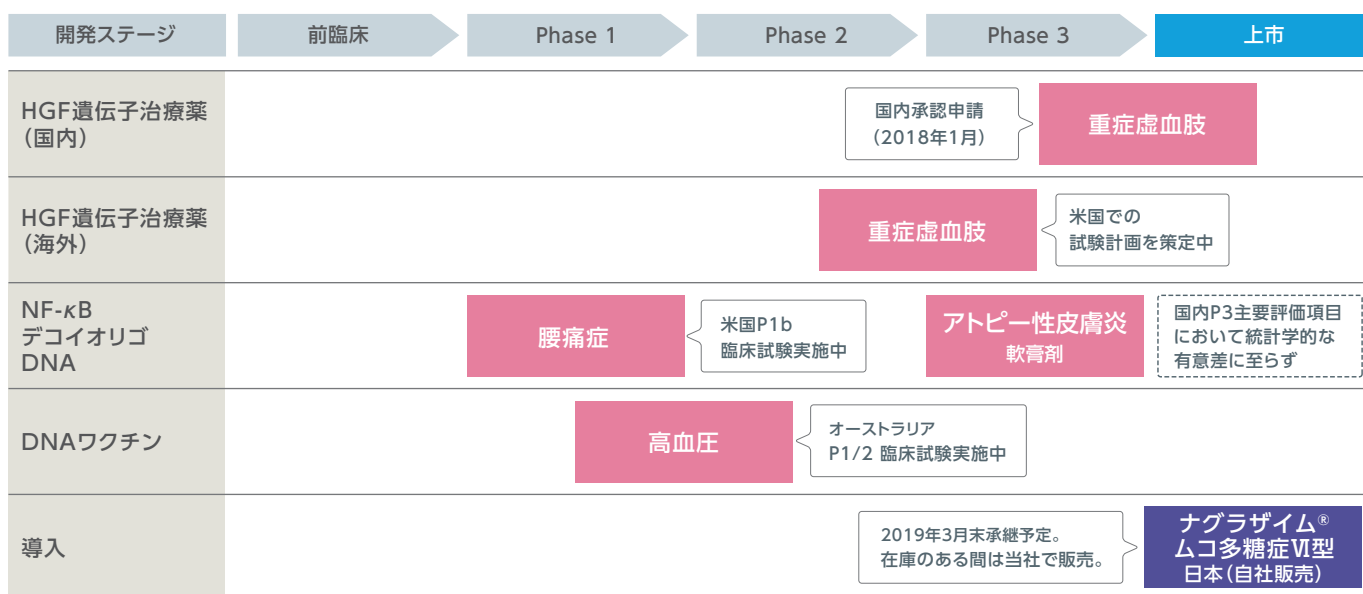
当社は1999年の創業以来、「HGF遺伝子治療薬」の開発を日本において先行して進めてまいりました。再生医療分野の条件及び期限付承認制度*2の下で承認獲得を目指し、2014年10月からは大阪大学医学部附属

病院が主導する先進医療B制度*3による医師主導型臨床研究を開始。2017年8月に目標症例数である6例目の観察期間が終了し、申請可能な結果を得られたことから承認申請に至りました。

「HGF遺伝子治療薬」の販売に関しまして、当社は田辺三菱製薬株式会社と国内及び米国での重症虚血肢を含む末消性血管疾患を対象とした独占的販売権許諾契約を締結しております。また、今般、イスラエルのKamada社と重症虚血肢を対象とした本剤の同国内での独占的販売についての基本合意書を締結いたしました。イスラエルでは日本や米国、EUといった薬事先進国で承認された医療用医薬品については、同国の臨床試験を行うことなく承認される可能性が高いことから同国内での手続きが順調に進めば2020年には

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



販売が開始される可能性があります。医薬品の承認については各国ごとに制度が異なっており、イスラエル以外にも日本での承認のみで販売が可能となる地域もあります。現在提携先が決まっている日本、米国及びイスラエル以外の地域につきましても、制度の違いに関わらず引き続き積極的に提携先の確保に努めてまいります。

血管再生作用で 虚血部位の血流を改善

臓器の形成や再生に関与する肝細胞増殖因子HGF (Hepatocyte Growth Factor) につきましては、1995年に大阪大学の森下竜一教授によって肝臓だけでなく血管を新生する作用が発見されました。当社は創業以来、「HGF遺伝子治療薬」の開発に取り組み、対象疾患として筆頭に選んだのが重症虚血肢(閉塞性動脈硬化症及びバージャー病)でした。重症虚血肢は糖尿病などによる動脈硬化が原因で足の血流が極度に悪化している状態で、カテーテルや外科的バイパス手術

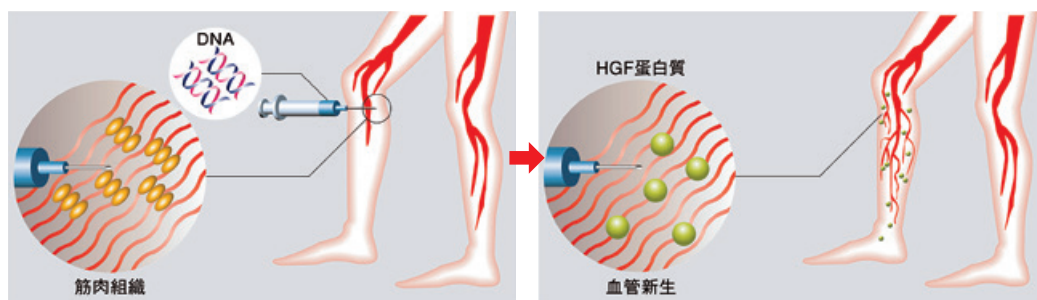
が困難な状態まで進行すると有効な治療手段がありません。これに対して当社が開発している「HGF遺伝子治療薬」は、血管を新しく作り出す血管新生作用を持つHGF遺伝子を組み込んだプラスミド(環状のDNA分子)を注射剤として筋肉に投与することにより、血管新生により虚血部位の血流の改善を促すというもので、重症虚血肢の患者さんの希望につながる新たな治療手段を提供できる可能性が高いと期待されます。また、日本国外でも多くの患者さんがこの疾患に苦しんでおり、米国でのこの疾病の潜在患者は年間50万人ともいわれております。当社では、現在米国での新たな臨床試験を実施すべく試験計画を策定しております。

【NF-κBデコイオリゴDNA【椎間板性腰痛症】

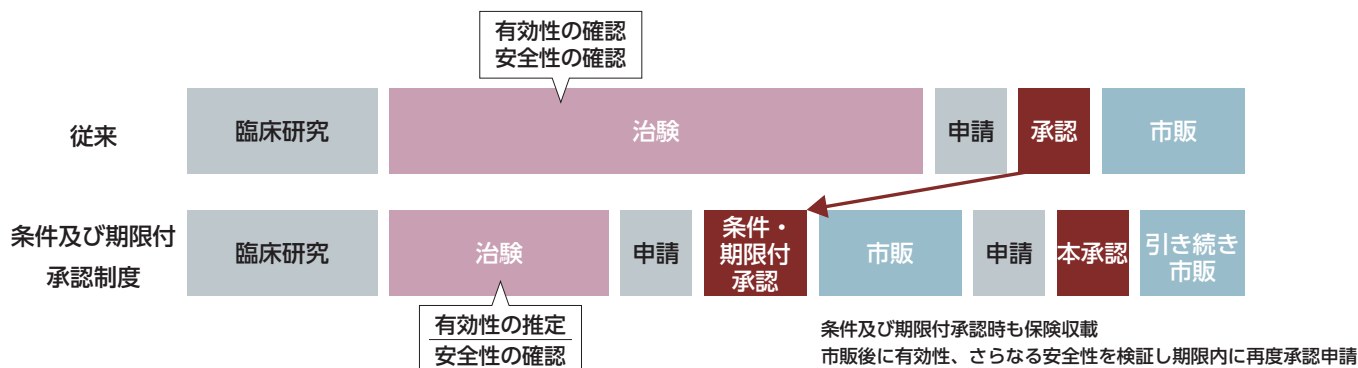
米国で核酸医薬の開発を先行 第I b相臨床試験が順調に進む

遺伝情報を司る物質である核酸を利用する核酸医薬が、次世代医薬品として高い期待を集めています。そ

HGF遺伝子治療薬による
血管新生(重症虚血肢)
イメージ



※2 条件及び期限付承認制度



の一種である「NF-κBデコイオリゴDNA(以下、NF-κBデコイ)」は、既存の鎮痛剤とは異なり、原因物質の働きを抑えることで鎮痛効果を発揮するものです。当社は現在、椎間板変性に起因した慢性的な腰痛疾患で、特に中高年層に多い椎間板性腰痛症を対象に、「NF-κBデコイ」の開発に取り組んでおります。米国では椎間板内注射による治療が一般的に行われているため、この手技に習熟している医師が多く、また、患者さんの数も多いことから、まずは同国における開発を先行し、2018年2月から第I b相臨床試験を開始しました。本臨床試験では投与後12ヶ月にわたって経過を観察し、安全性及び有効性を確認しています。現在のところ、当初計画より若干の遅れがあるものの、特段の問題なく患者さんの登録が進んでおります。

【DNAワクチン(高血圧)】

1度の投与で長期間の薬効に期待 豪州で第I/II相臨床試験を継続

当社は遺伝子医薬の研究開発で蓄積した創薬研究ノウハウと開発技術を活かしてDNAを利用した治療ワクチン事業を進めております。現在は血圧上昇作用を持つ体内物質に対する抗体を体内で作り出し、その働きを抑えることで高血圧を治療することを目的に「高血圧DNAワクチン」の開発に取り組んでおります。高血圧症を対象とした医薬品は既に数多くありますが、高血圧治療の経口医薬品は一般に、一度服用を始めると毎日飲み続ける必要があります。本剤は1度の投与で長期間にわたって薬効が続くことが期待され、特に服用の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、市場規模が大きく、高い事業性が期待されます。2018年4月よりオーストラリアにて、第I/II相臨床試験を開始し、安全性及び有効性を確認しています。症例数は24例で観察期間は12ヶ月となっており、現在のところ順調に患者さんの登録が進んでおります。

株主の皆様へ

当社は2018年1月、厚生労働省に対し「HGF遺伝子治療薬(重症虚血肢)」の製造販売承認申請を行いました。また、新たな事業提携、資本提携を行うなど、今後の成長に向けて積極的に事業展開に取り組んでおります。なお、導入品であるムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム®」につきましては、2019年3月末日をもって日本国内での製造販売承認及び販売をBioMarin Pharmaceutical Japan社に承継する予定(ただし、当社の在庫が無くなるまで当社で販売を継続)であることをご報告させていただきます。

当社は企業理念として「人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献」することを掲げておりますが、株主の皆様のおかげをもちましてようやく実現に近づいてまいりました。今後も病気に苦しむ患者さんに有効な治療法をいち早くご提供できるよう一層努力してまいりますので、株主の皆様には引き続きご支援、ご鞭撻を賜りますようお願い申し上げます。

※本株主通信における記載内容は2019年2月15日現在のものです。

※1 再生医療等製品

遺伝子治療用製品が含まれる。なお、再生医療等製品については、期限付き、条件付きで早期に承認する「条件及び期限付承認制度」が導入されている。

※3 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。

議決権行使のお願い

議決権は、株主の皆様が当社の経営に参加いただくための大切な権利です。
下記のいずれかの方法により、議決権を行使していただきますようお願い申し上げます。

株主総会に当日 ご出席 いただける方

同封の議決権行使書用紙を
お持ちいただき、会場受付に
ご提出ください。

日時 2019年3月28日(木)午前10時

場所 大阪府豊中市
新千里東町二丁目1番D-1号
千里阪急ホテル西館2階仙寿の間

株主総会に当日 ご出席 いただけない方

郵送



同封の議決権行使書用紙に各議案に対する賛否をご表示いただき、
ご返送ください。

行使期限 2019年3月27日(水)午後10時到着

インターネット



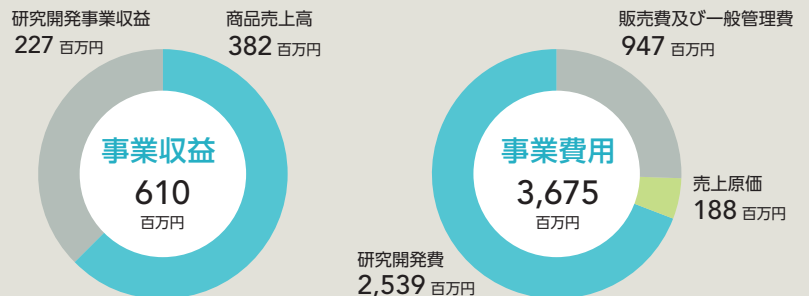
パソコン・スマートフォン・携帯電話で当社指定の議決権行使サイトにア
クセスしていただき、議案に対する賛否をご入力ください。詳細は「第20期
定時株主総会招集ご通知」p.3~5をご参照ください。

行使期限 2019年3月27日(水)午後10時まで

連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2017年12月期	2018年12月期
事業収益	365	610
営業損失	3,288	3,065
経常損失	3,307	3,096
親会社株主に 帰属する 当期純損失	3,764	2,996
純資産額	3,621	7,734
総資産額	3,963	8,050
現金及び 現金同等物の 期末残高	1,147	5,784



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®」販売に加え、当社が保有していた使用予定のない非臨床試験データを他社に売却したことなどにより、6億10百万円(前年同期比2億44百万円(+67.1%)の増収)となりました。
- 営業損失は、30億65百万円(前年同期の営業損失は32億88百万円)となり、前年同期より2億23百万円損失が縮小いたしました。これは主に、HGF遺伝子治療薬の国際共同第Ⅲ相臨床試験にかかる費用が減少したことなどによるものです。

2019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	親会社株主に帰属する 当期純損失
335	2,800	2,800	2,800

- 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、招集ご通知及び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

(2018年12月31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〉 〒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1階
会社設立	1999年12月		
決算期	12月31日		
資本金	9,395百万円		
従業員数	36名(連結)		
事業内容	遺伝子医薬品の研究開発		
URL	https://www.anges.co.jp/		
			〈東京支社〉 〒108-0014 東京都港区芝四丁目13番3号 PMO田町東9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 https://www.anges.co.jp/ (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		
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	上場証券取引所	東京証券取引所
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第29号 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部	(ご注意)	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「IR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。

