

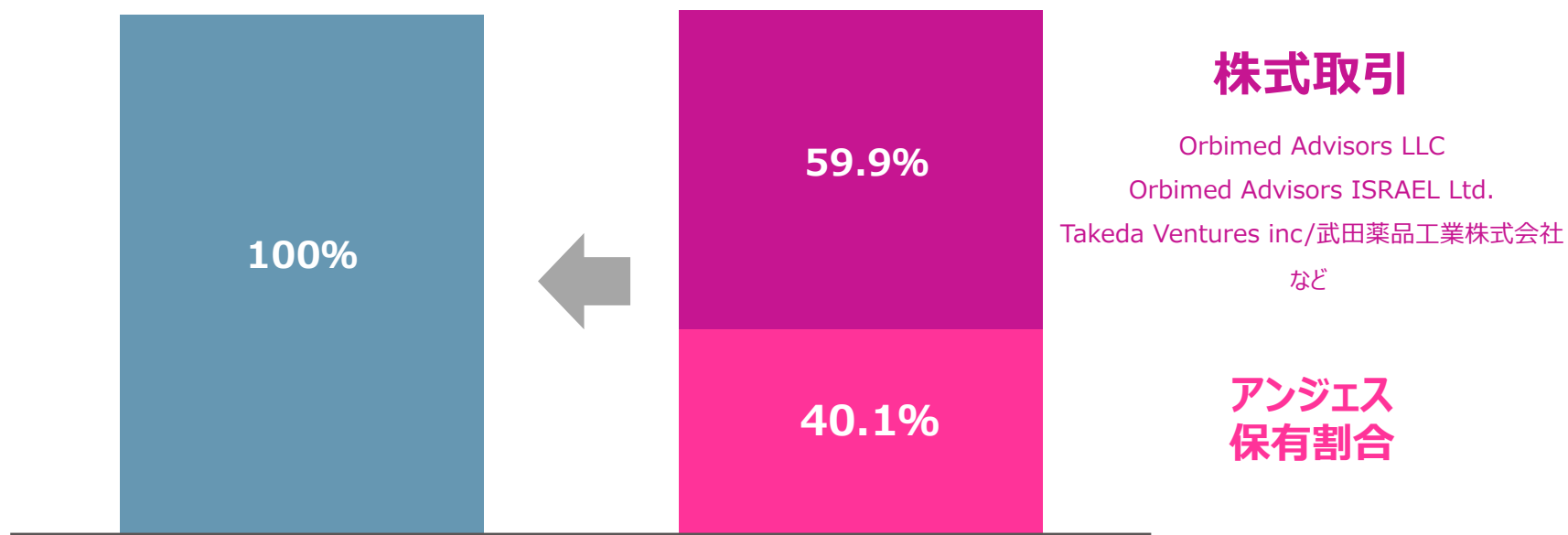
# 買収合意の締結に関して

2020年11月9日

# 取引概要

# 取引概要

## Emendo株式の100%を取得



# 取引の狙い

既存の治療法ではアプローチできなかった、  
多くの適応症に対応できるゲノム編集技術の獲得

遺伝子治療プログラムとゲノム編集プラットフォーム技術を  
融合して、グローバルマーケットを狙う企業になる

双方の経験を活用し、  
いち早くゲノム編集の人への実用化を目指す

※遺伝子治療プログラムとは、遺伝子治療用製品候補品のこと、製品化するまでの開発計画のこと



## その他

買収による事業領域の拡充

株式交換による買収

Emendoと武田薬品工業とのがん領域での開発継続

# 遺伝子治療とゲノム編集



**1999年12月**

---

**アンジェス株式会社  
設立**



A world map is centered on the background, which is a light blue crumpled paper texture. The map is rendered in a darker blue color. The text is overlaid on the map.

**世界初**

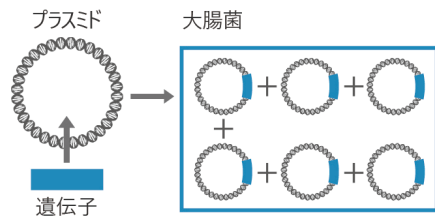
**2019年プラスミドDNAを用いた  
HGF遺伝子治療用製品を  
製品化することに成功**

# 現在の遺伝子治療の3つの治療方法

プラスミドDNAを用いた世界初となる遺伝子治療用製品

## ① プラスミド

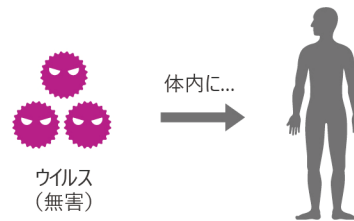
遺伝子組み換え操作のベクターとしてプラスミドを用いる



大腸菌などの細菌に存在する環状のプラスミドDNAに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。

## ② ウイルスベクター

ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法

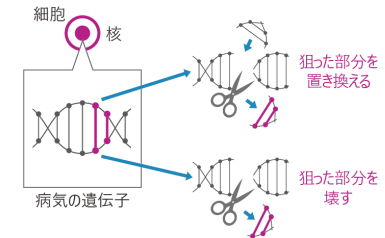


人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。

\*ベクターとは、  
遺伝子を核の中に導入するための道具

## ③ ゲノム編集

ゲノム中の標的配列を自在に変える技術を用いる



生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、異常な遺伝子が発現しないように破壊したり、正常な遺伝子に書き換えたりする技術。

日本国内初となる遺伝子治療用製品

2019年製品化

**HGF**  
**アンジェス株式会社**  
(日本)

遺伝子治療世界初!

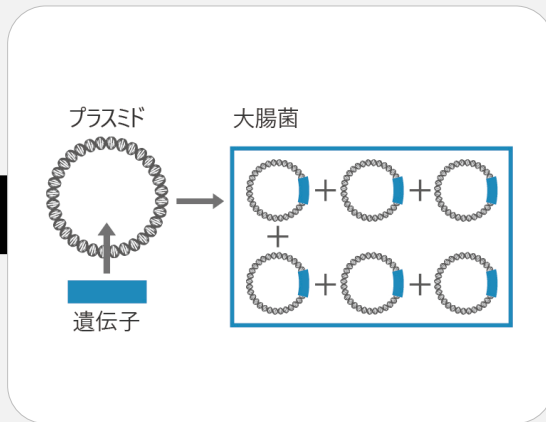
2012年製品化

オランダの企業

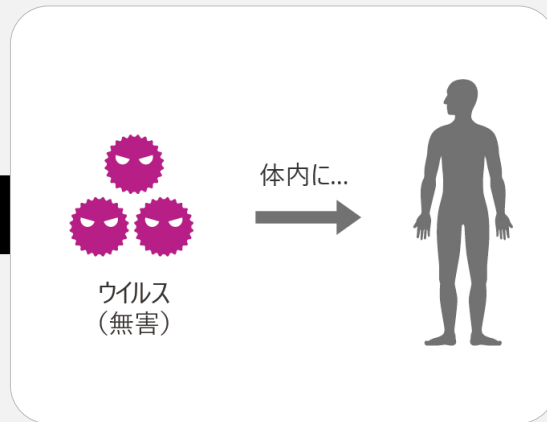
まだ製品化されていない

# 次のパラダイムシフト

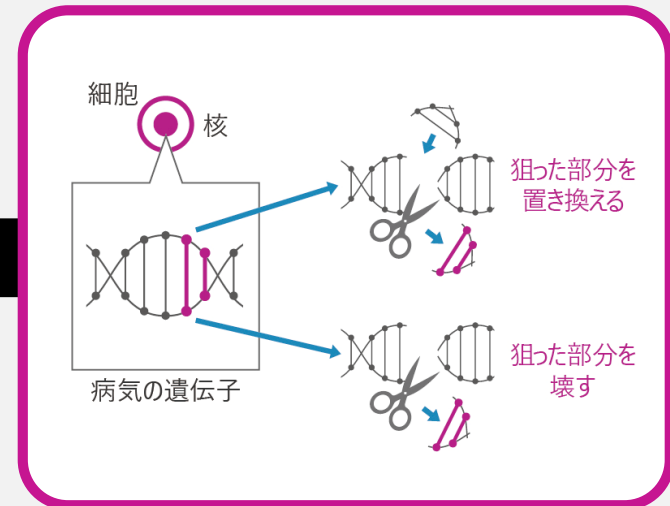
## プラスミドDNA



## ウイルスベクター



## ゲノム編集



ゲノム編集は  
究極の遺伝子治療！



**ゲノム編集とは、  
特定の塩基配列（ターゲット配列）のみを切断する  
DNA切断酵素（ヌクレアーゼ）を利用して、  
遺伝子を改変する技術。**

## ★CRISPR-Cas9 クリスパーキャスナイン

(Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats  
/Crispr-Associated Proteins 9 )

→2012年、

これまでの技術より、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革命的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。



②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③誘導された場所の  
特定の場所を切り取る。

ヌクレアーゼ（酵素）



2020年ノーベル化学賞を受賞し、世界中で注目されている技術であり、  
ゲノム編集のヒトへの適用が待ち望まれています。





ゲノム編集の次世代キープレイヤー  
**EmendoBio Inc.**





**エメンドバイオ社（米国）は、  
ゲノム編集の能力を拡大することを目的として設立されました。**

合成生物学を駆使して、ゲノム編集の領域で対応できる適応症を拡大し、  
いままで治療不可能であった疾患を治療することを目指しています。

（エメンド社ウェブサイトより）



デイビット                      バラム

# David Baram Ph.D.

Founder & Chief Executive Officer

2015年、イスラエルのワイツマン科学研究所の科学者たちと共同で、  
EmendoBio Inc.を設立。

イスラエルのワイツマン科学研究所で、ノーベル化学賞（2009年）を受賞した  
Ada Yonath 博士に師事し、構造生物学とタンパク質工学を専攻。博士号を取得。

「RNA COMPOSITIONS FOR GENOME EDITING」

（遺伝子編集のためのRNA組成物）等、

30件以上の特許を取得しています。

## Emendoの技術に関する補足

**1 : Emendo独自のヌクレアーゼを確立**

**2 : 高精度アレルト異的遺伝子編集を可能に。**

**3 : 見込まれる適応症と市場規模**

# Emendo独自のヌクレアーゼを確立

①塩基配列を読み取る。

ATGCTTAAGCT  
TACGAATTCGA

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA



③より精度高く、誘導された場所の特定の場所を切り取る。

独自のヌクレアーゼ（酵素）

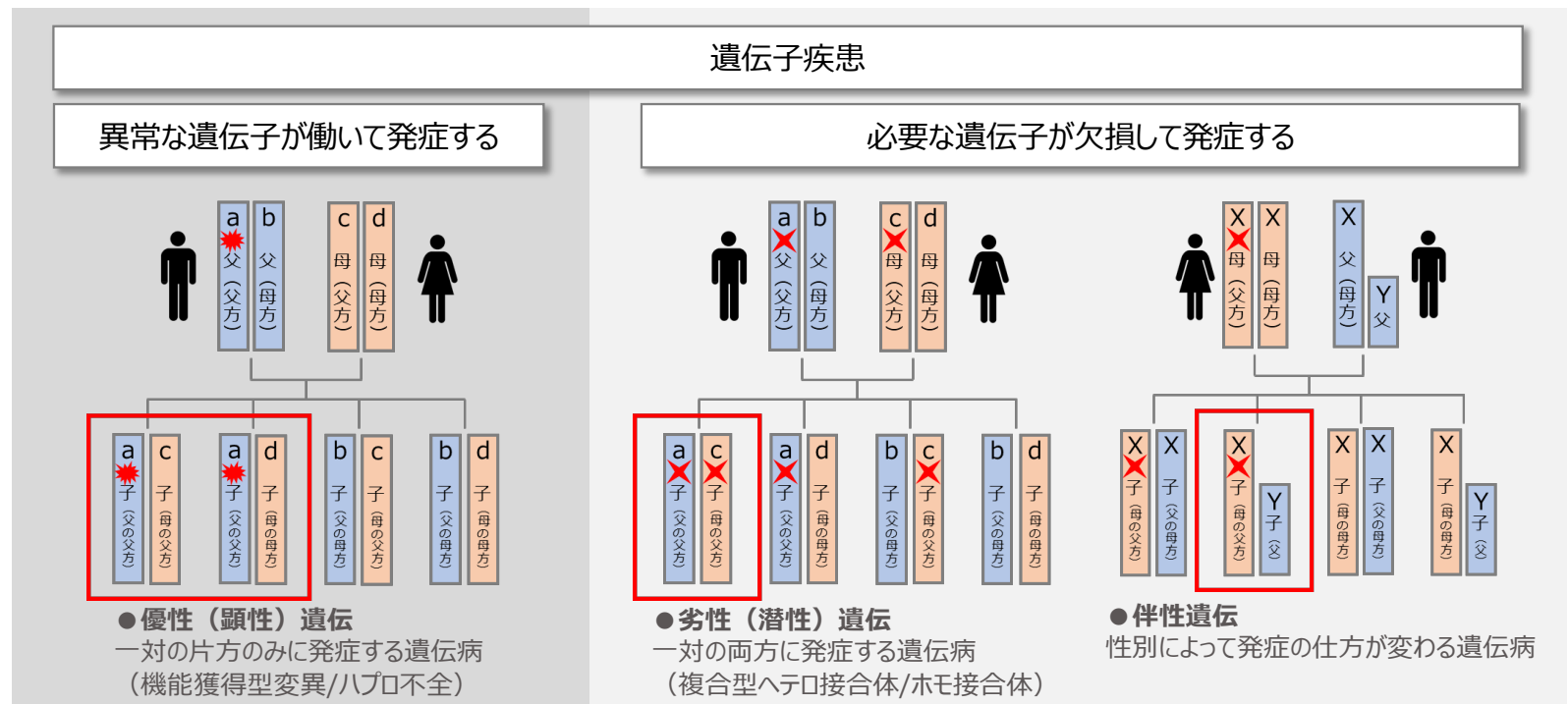
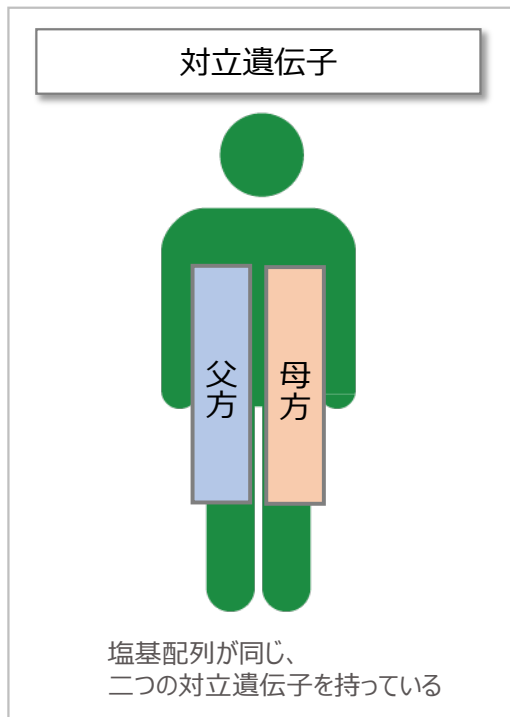


独自の開発プラットフォームを確立

# CRISPR - OMNI™ nuclease

# 高精度アレル特異的遺伝子編集を可能に①

▼人は父方と母方からなる塩基配列が同じ2つの対立する遺伝子を持っています。

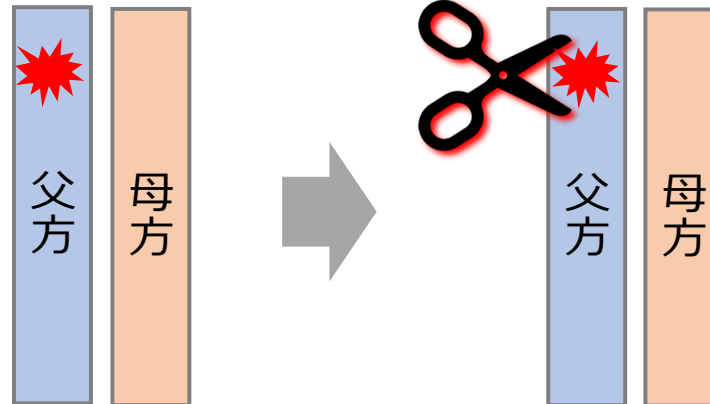


▲遺伝子疾患には、父方と母方両方の遺伝子に異常がある場合と、父方が母方のどちらかの遺伝子だけに異常がある場合があります。

## 高精度アレル特異的遺伝子編集を可能に②

アレル特異的遺伝子編集とは、対をなす対立遺伝子の一方を傷つけることなく、もう一方のみをターゲットにして編集できること！

ゲノム編集によって異常な遺伝子を編集しようとする、もう片方の正常な遺伝子（対立遺伝子）まで編集してしまう可能性があります。



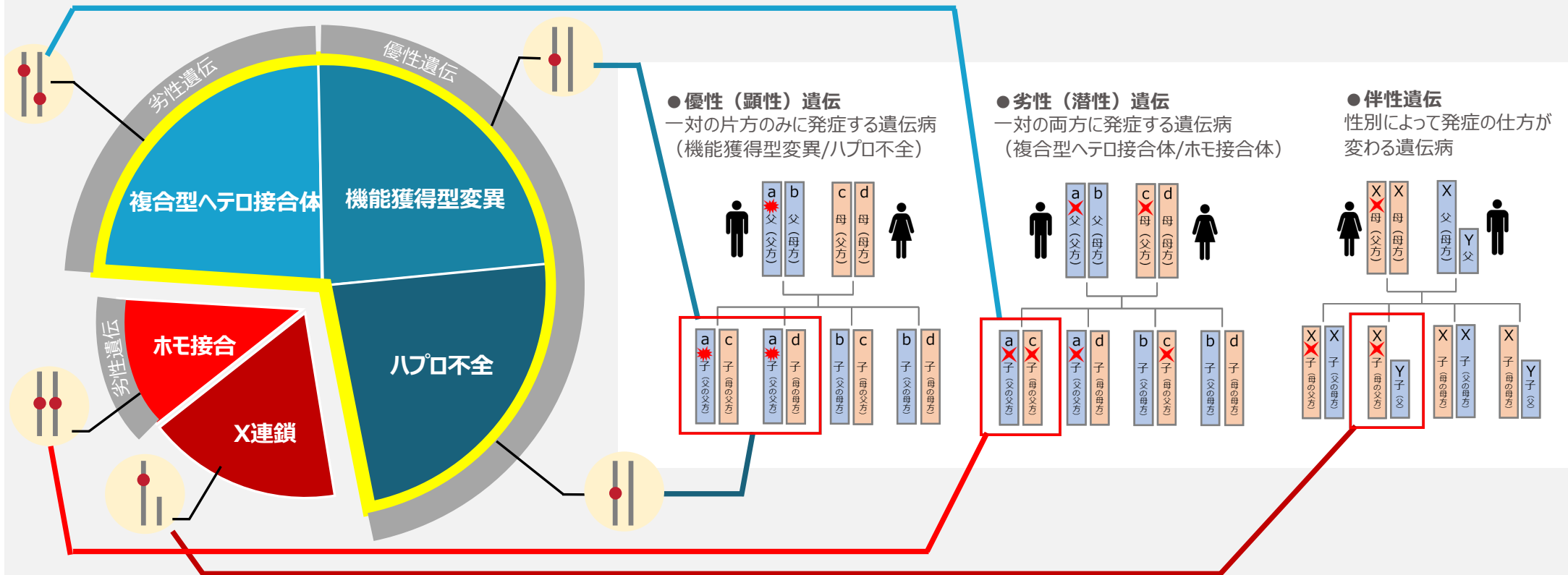
Emendoでは、対立遺伝子のわずかな違いを確実に識別できる高精度なゲノム編集を可能にした。

Emendoは、独自のヌクレアーゼを安全かつ効果的な遺伝子編集を可能にする高精度に最適化することで、片方の遺伝子だけに異常がある**数多くの優性疾患を初めて治療**することが可能になり、ゲノム編集による治療の適用範囲が広がる。



# 見込まれる適応症

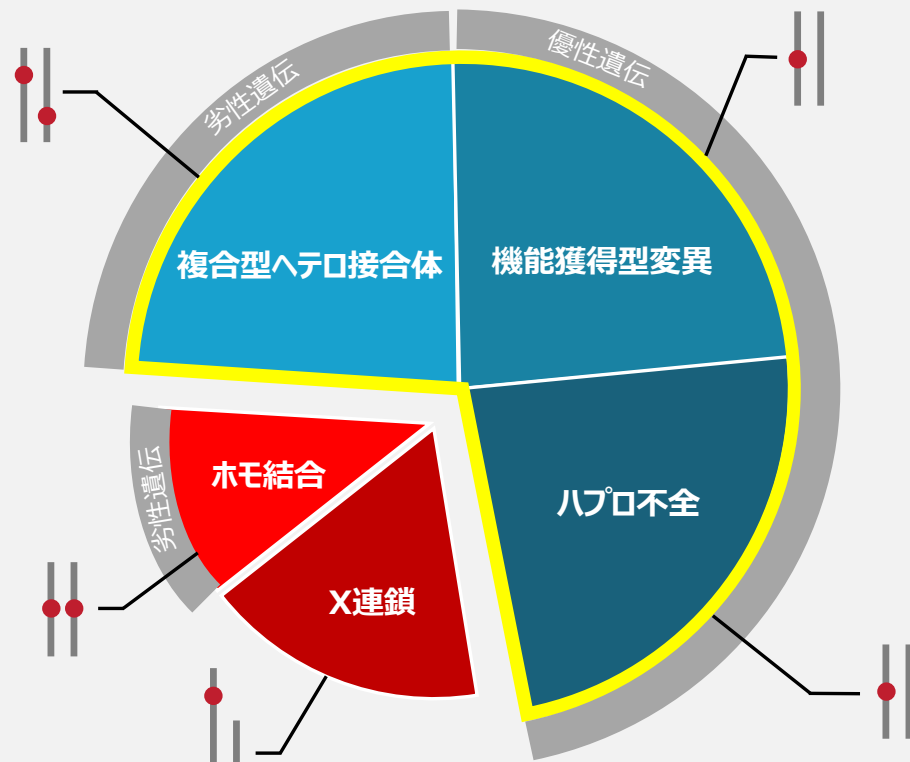
黄色い枠線で囲われている遺伝子疾患がアレル特異的遺伝子編集の対象



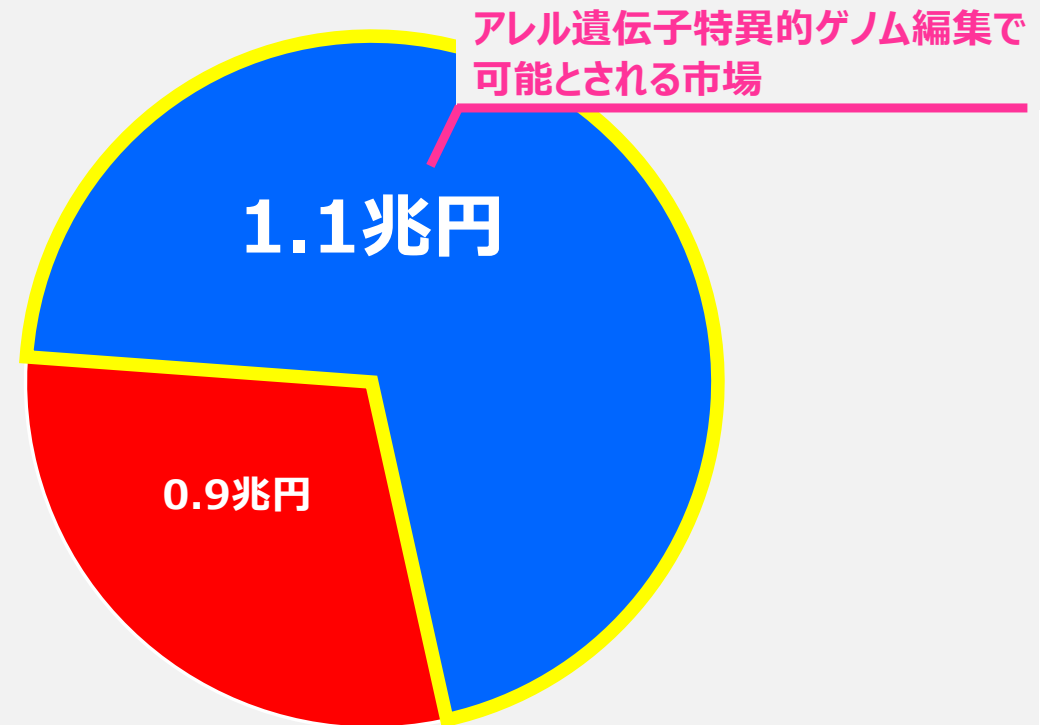


# 見込まれる適応症と市場規模

遺伝子疾患

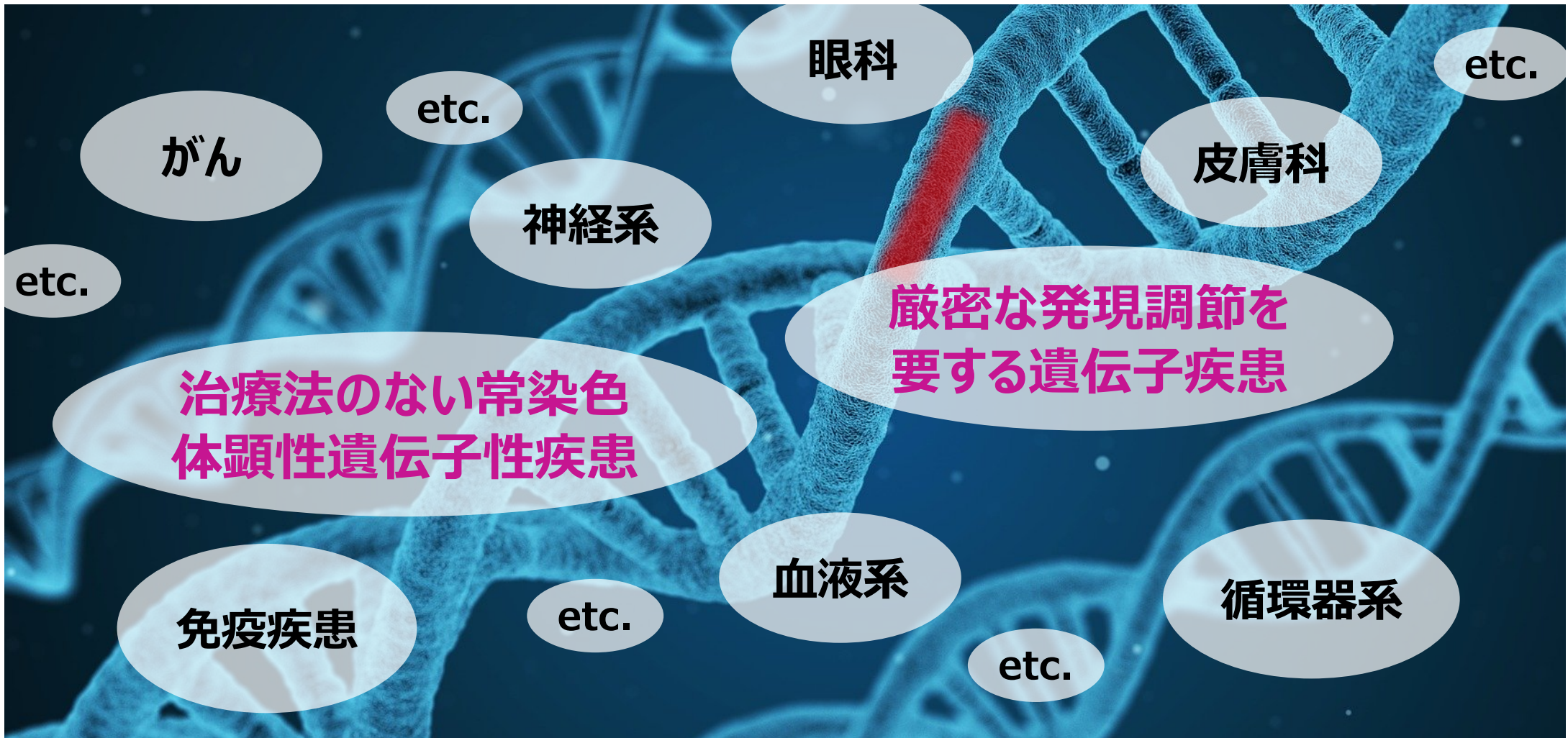


市場規模



※エメンド調べ

# 今後考えられる適応症



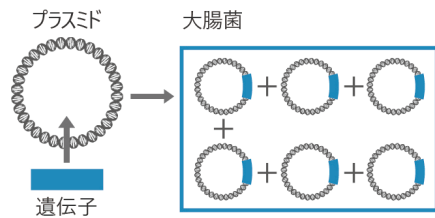
Emendo買収  
によって、  
技術を獲得

# 現在の遺伝子治療の3つの治療方法

プラスミドDNAを用いた世界初となる遺伝子治療用製品

## ①プラスミド

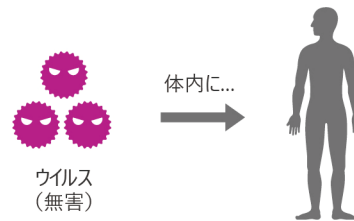
遺伝子組み換え操作のベクターとしてプラスミドを用いる



大腸菌などの細菌に存在する環状のプラスミドDNAに遺伝子を挿入し、それを大腸菌に導入することによって大量培養するため、短期間で大量にプラスミドを作ることが可能。

## ②ウイルスベクター

ウイルスが細胞に感染する機構を利用した遺伝子導入法

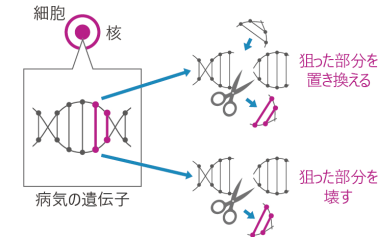


人に対して病気を起こさせることのない無害なウイルスをベクターに用いて、患者の体内に遺伝子を補充する。

\*ベクターとは、  
遺伝子を核の中に導入するための道具

## ③ゲノム編集

標的ゲノムの配列を自在に変える技術を用いる



生命の設計図である遺伝情報(ゲノム)の狙った場所を切断し、正常な遺伝子に書き換える技術。

日本国内初となる遺伝子治療用製品

2019年製品化

**HGF**  
**アンジェス株式会社**  
(日本)

遺伝子治療  
世界初!

2012年製品化

オランダの企業

まだ製品化されていない

# 両社のシナジー

# 両社の実績



AnSes	EMENDO
ゲノム編集プラットフォーム	OMNIヌクレアーゼの探索及び最適化
創薬体制	ヌクレアーゼの最適化、編集戦略の構築 クリスパー、タンパク質工学、細胞治療、 合成生物学
CMC:開発	RNAタンパク質複合体 (RNP)
CMC:治験、市販後	
薬事	
臨床開発	
上市実績	

遺伝子治療、オリゴ核酸（デコイ）、  
DNAワクチン

プラスミド、オリゴ核酸（デコイ）

プラスミド、オリゴ核酸（デコイ）

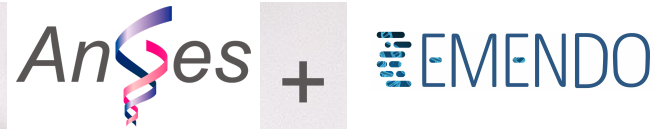
PMDA、FDA 等

遺伝子治療薬、オリゴ核酸（デコイ）

HGF遺伝子治療薬（コラテジエン®）



# 機能補完と相乗効果



ゲノム編集プラットフォーム

OMNIヌクレアーゼの探索及び最適化

創薬体制

遺伝子治療、オリゴ核酸（デコイ）、DNAワクチン、ヌクレアーゼの最適化、編集戦略の構築、クリスパー、タンパク質工学、細胞治療、合成生物学

CMC:開発

プラスミド、オリゴ核酸（デコイ）、RNAタンパク質複合体（RNP）

CMC:治験、市販後

プラスミド、オリゴ核酸（デコイ）

薬事

PMDA、FDA 等

臨床開発

遺伝子治療薬、オリゴ核酸（デコイ）

上市実績

HGF遺伝子治療薬（コラテジエン®）

# アンジェスの将来

# 遺伝子医薬のグローバルリーダーになるために

アンジェスは、  
ゲノム編集の技術の  
IP（特許）を保有することになる。  
自社創薬の領域が広がる。

アンジェスの  
遺伝子治療薬上市実績から  
ゲノム編集技術の人への  
適用により近づく。





日本初の遺伝子創薬企業アンジェスは、  
米国を含むグローバルでの事業展開を加えることで、  
世界的な遺伝子医薬企業となり、  
**遺伝子治療プログラムと**  
**次世代ゲノム編集プラットフォーム技術**を有する  
**世界初**の企業となります。

# まとめ

既存の治療法ではアプローチできなかった、  
多くの適応症に対応できるゲノム編集技術の獲得

遺伝子治療プログラムとゲノム編集プラットフォーム技術を  
融合して、グローバルマーケットを狙う企業になる

双方の経験を活用し、  
いち早くゲノム編集の人への実用化を目指す

※遺伝子治療プログラムとは、遺伝子治療用製品候補品のこと、製品化するまでの開発計画のこと



遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して

Aiming to be a global leader in genetic medicine

