



AnGes

アンジェス株式会社
2022年12月期 第2四半期決算説明会

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2022年8月

- ◆ 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。

1

アンジェスについて

2

2022年12月期 第2四半期決算サマリー

3

開発品のトピックス

+

参考資料

01

アンジェスについて

VISION & MISSION



**アンジェス株式会社は、
遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指します**

当社は、革新的な医薬品の実用化を目指し
遺伝子医薬などの次世代バイオ医薬に関する研究開発を中核とした事業を展開しています

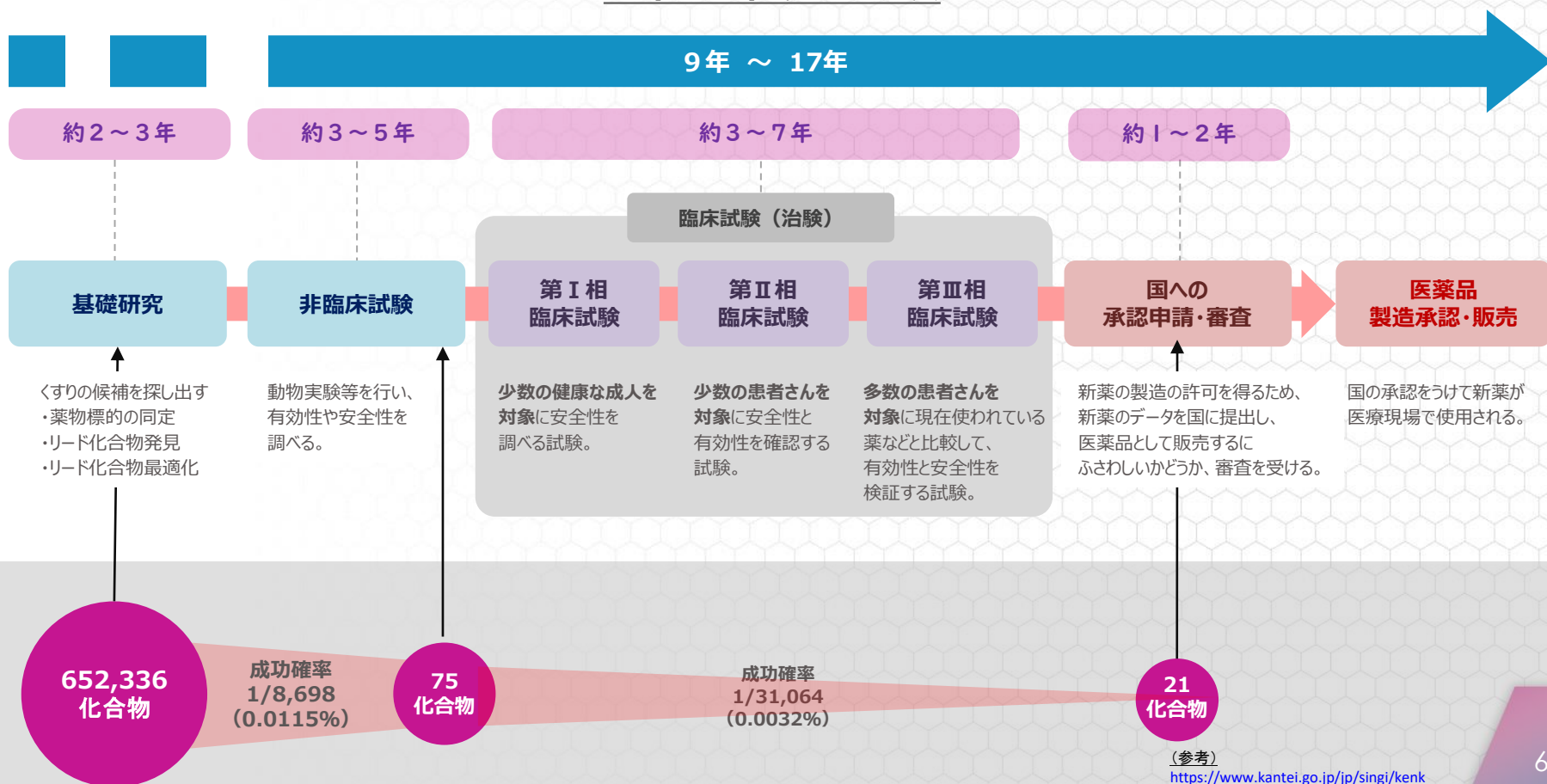
当社は、遺伝子医薬や治療ワクチンといった次世代バイオ医薬を
創製する先端技術を基盤に、
治療法がない疾病分野や難病、**希少疾患**などを対象にした
革新的な医薬品の開発を通じて、
国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、
革新的な医薬品を**少しでも早く患者様にお届けする**ことを目指しています。

新薬開発までの道のり

新薬開発の成功率は低く、難易度は非常に高い！

化合物が新薬として発売される可能性は、およそ3万分の1 (0.003%)

医薬品の開発プロセス



02

2022年12月期 第2四半期決算サマリー

2022年度第2四半期 連結業績ハイライト

項目 (単位:百万円)	2021年度 第2四半期累計	2022年度 第2四半期累計	増減額
事業収益	23	31	+8
事業費用	7,563	9,156	+1,592
営業損失	△7,540	△9,124	△1,583
営業外収支	+210	+1,704	+1,494
経常損失	△7,330	△7,420	△89
特別利益/損失	△105	-	+105
当期純損失	△7,450	△7,425	+24

事業収益 (前年比+38.1%)

コラジェン売上 3百万 (前年23百万)
ACRL検査受託 28百万 (前年-百万)

事業費用 (前年比+21.1%)

売上原価 36百万 (前年 13百万)
研究開発費 6,617百万 (前年4,961百万)
・コロナワクチン開発の製造関連に伴う外注費の増加
・コロナワクチン臨床試験の投与完了により研究材料費減少
販管費 2,502百万 (前年2,588百万)
・のれん償却 1,348百万 (前年1,180百万)
\$ベースの償却費は前年と同額ながら円安に伴う影響
平均\$レート 当年123.15円 前年107.82円

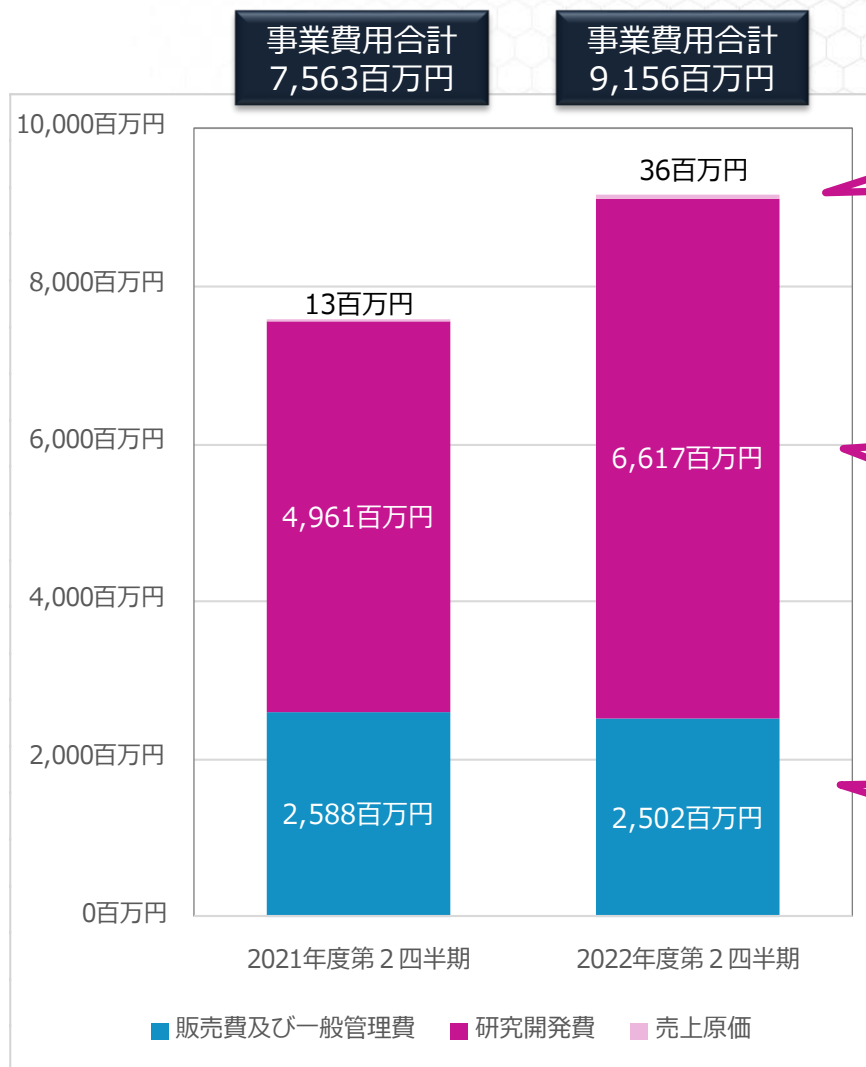
営業外収支

・AMED及びVasomuneの政府等補助金 +202百万
・円安に伴う外貨建資産評価替による為替差益 +1,489百万
(前年266百万)
2022/6末 1\$ = 136.69円 2021/12末 1\$ = 115.02円

特別利益/特別損失

・当期は発生なし
(前年: 投資有価証券評価損△138百万等)

事業費用の内容



売上原価：36百万円
 (前年比 +22百万 +165.9%)
 「コラテジェン」に加えオプションスクリーニング事業の原価が加わる。
 オプションスクリーニングはアンジェスクリニカルリサーチラボ (ACRL)で検査業務を行い原価構成が「コラテジェン」と異なる。

研究開発費：6,617百万円
 (前年比 +1,655百万、+133.4%)
 ① 研究材料費884百万 (前年比△621百万)
 コロナワクチン臨床試験の投与完了により研究材料費減少
 ② 外注費4,170百万 (前年比+2,125百万)
 コロナワクチン開発の製造関連に伴う外注費の増加
 ③ 給与手当501百万 (前年比+138百万)
 Emendo社の人員 (研究者) 増加

販売費及び一般管理費：2,502百万円
 (前年比 △85百万円、△3.3%)
 ① 支払手数料958百万 (前年比+119百万)
 Emendo関連コンサルティング費用の減少
 ③ のれん償却費1,348百万 (前年比+167百万)
 円安に伴う償却費の増加
 (ドル建ての「のれん」を円評価するため)

連結貸借対照表 ハイライト

項目 (単位:百万円)	2021年 12月末	2022年 6月末	増減額
流動資産	21,426	15,771	△5,654
うち現金及び預金	17,899	13,211	△4,687
固定資産	24,029	26,821	+2,791
うち「のれん」	22,675	25,450	+2,775
総資産	45,455	42,592	△2,862
負債	6,821	8,079	+1,258
純資産	38,634	34,513	△4,121

流動資産

- 事業支出に伴い前年比の減少。新たな資金調達はなし。
現預金 13,211百万
- コロナワクチンの製造関連費用の振替に伴い減少
前渡金552百万(前年比△1,161百万)

固定資産

- 10年償却による減価償却△1,348百万はあるも、為替円安に伴う評価替4,123百万により残高増加
(純資産の部 為替換算調整にて処理)
Emendo社買収によるのれん残高
25,450百万(前年比+2,775百万)

負債

- コロナワクチン開発に対するAMED・厚労省助成金の増加
前受金 5,764百万(前年比+644百万)
- コロナワクチンの製造関連費用の計上に伴う増加
買掛金 1,524百万(前年比+804百万)

純資産

- 当期損失による利益剰余金のマイナス
△19,861百万(前年比△7,425百万)
- 円安に伴うのれんの評価替に伴う増加
為替換算調整 5,220百万(前年比+3,316百万)

03

開発品のトピックス

臨床開発ステージにあるプロジェクトの状況

■ 開発品

プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	条件・期限付き承認	販売	市販後調査	本承認
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミンゲンベラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶		▶	▶	▶		
プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	承認			
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相					
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミンゲンベラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症 安静時疼痛	▶	▶	▶	▶	▶					
	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶				
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶						▶			
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶						▶			
NF-κBデコイオリゴDNA	米国	-	注射剤	腰痛症	▶	▶	▶	▶	▶					
DNAワクチン	オーストラリア	-	注射剤	高血圧	▶	▶	▶	▶	▶					
DNAワクチン	国内外	-	注射剤	新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	▶	▶	▶	▶	▶					
Tie2受容体 アゴニスト化合物	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19 および 急性呼吸窮迫症候群	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶			

■ 導入品

プロジェクト	地域	導入元	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	承認	
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相			
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger	カプセル剤	早老症 (HGPS・PL)	▶						▶	NEW

HGF遺伝子治療用製品 開発状況

HGF遺伝子治療用製品とは？

遺伝子治療とは

特定の遺伝子を患者の体内に入れて、その遺伝子から作られるタンパク質の働きによって、病気を治す治療法。

HGFとは

肝細胞の増殖を促す物質。

1984年、日本にて、最も再生能力の高い臓器である肝臓から一つの成長因子が発見されました。その因子は、肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor : HGF）と名付けられ、肝臓のみならず、血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において主要な役割を果たしていることがわかりました。

HGFには、血管を新生する能力があることを発見

1995年、大阪大学の森下竜一教授らの研究チームにより、HGFに「血管を新生する」能力があることが発見され、血管が詰まり血流が悪くなっている虚血性疾患(きよけつせい しかん)に対し、「血管を新生する」というこれまでにない作用を有する治療薬「HGF遺伝子治療薬」の開発が始まりました。

※「血管を新生する」とは、血管を新しく増やすこと。新生(新しく作る)していくことで、血管が再生されていきます。

“血管を新生する遺伝子治療薬” HGF遺伝子治療用製品「コラテジエン®」

アンジェスは、2019年、世界で初めてプラスミドDNAを用いた
HGF遺伝子治療薬を製品化することに成功しました。



コラテジエン®筋注用 4mg

【薬価】

611,478円/1バイアル（1瓶）

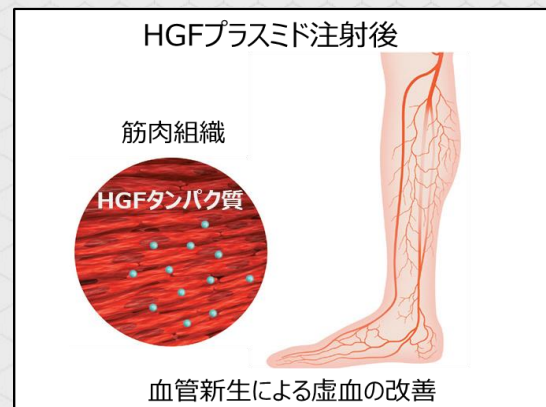
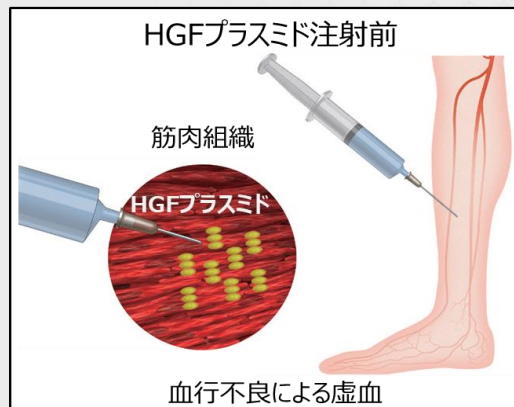
【効能、効果又は性能】

慢性動脈閉塞症（閉塞性動脈硬化症及びバージャー病）における潰瘍の改善

【用法及び用量又は使用方法】

通常、成人には、投与対象肢の虚血部位に対して1カ所あたり本品0.5mgを8カ所に4週間間隔で2回筋肉内投与する（1回総計4mg × 2回）

HGF遺伝子治療用製品による血管新生



当社のHGF遺伝子治療用製品は、 1つの国内初と4つの世界初となる製品です

① **国内初**の遺伝子治療用製品

② **世界初**のプラスミド（DNA分子）製品

※以下3機関の承認基準
・FDA（米国）
・EMA（欧州医薬品庁）
・厚生労働省（日本）

③ **世界初**のHGF実用化製品

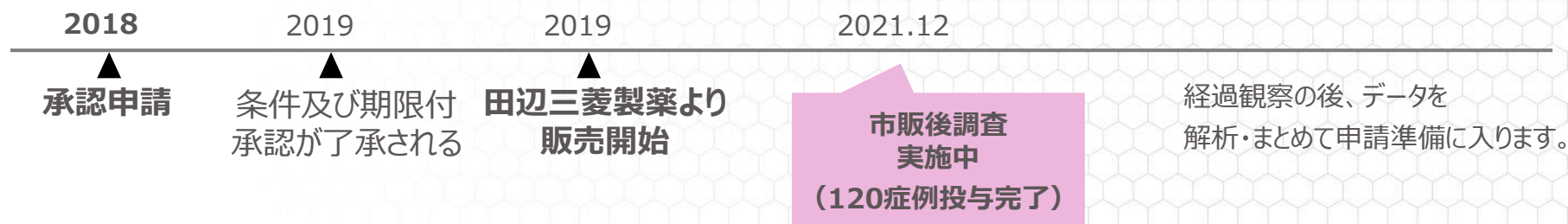
④ **世界初**の末梢血管を新生する治療用製品

⑤ **世界初**の循環器医療領域での治療用製品

* 2019年3月に条件及び期限付製造販売承認を取得した時点での情報です。

本承認に向けて、市販後調査実施中。 （2021年12月時点で120例の投与は完了）

市販後調査は
5年（2024年）以内に
120症例を元に本承認を目指す



対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍 （血管が完全に詰まり、血流が遮断され、栄養や酸素の不足により、ちょっとした傷でも治癒できず、虚血性の潰瘍や壊疽（えそ）が起こる状態）
患者数	慢性動脈閉塞症80万人（日本）（出典：IMS Health調査資料）
開発状況	2019年9月10日より 田辺三菱製薬より販売開始。 市販後調査での120症例を元に、5年（2024年）以内に本承認を目指す。（2021年12月時点で120例の投与完了）

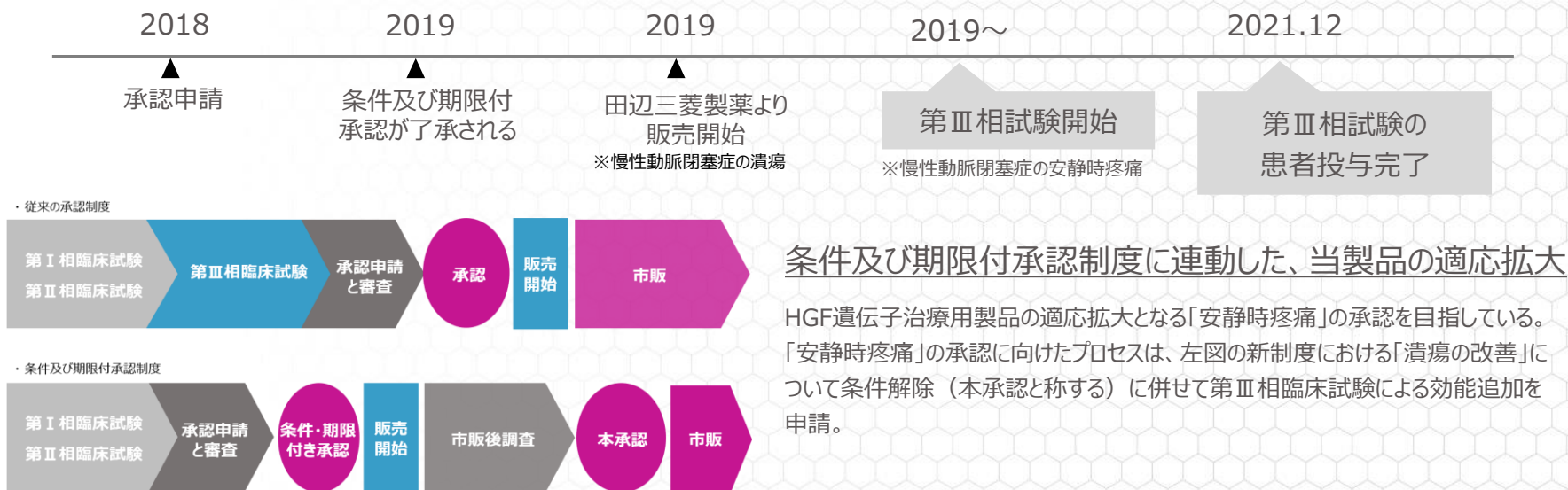
2019年9月：田辺三菱製薬より販売開始

2019年2月：厚生労働省 薬事・食品衛生審議会 再生医療等製品・生物由来技術部会にて条件及び期限付製造販売の承認。

2018年1月：厚生労働省に対し製造販売承認申請。

2015年：田辺三菱製薬と国内における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。

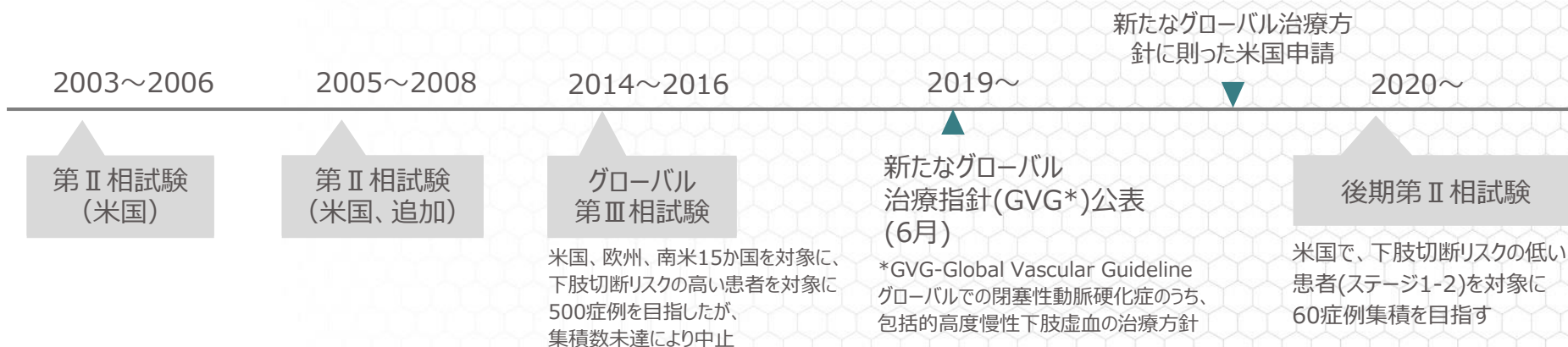
適応拡大のため、第Ⅲ相臨床試験 患者投与完了



対象疾患	慢性動脈閉塞症の安静時疼痛
患者数	慢性動脈閉塞症80万人（日本）（出典：IMS Health調査資料）
開発状況	第Ⅲ相臨床試験の患者投与完了（2021年12月）

- 2021年12月：第Ⅲ相臨床試験の患者投与完了。
- 2019年10月：本承認に向け、約2年で約40の症例数の第Ⅲ相臨床試験を開始。
- 2015年：田辺三菱製薬と国内における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。

米国にて、後期第Ⅱ相臨床試験を実施中。



対象疾患	慢性動脈閉塞症の潰瘍
患者数	閉塞性動脈硬化症：778万人（米国）（出典：Foster Rosenblatt調査資料）
開発状況	米国での後期第Ⅱ相臨床試験を実施中（2020年2月～）

2020年：トルコを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書をEr-Kim社と締結。

米国で、新たなガイドライン（Global Vascular Guideline）に沿った後期第Ⅱ相試験を実施中。

2019年：イスラエルを対象国とした導出（独占的販売権許諾）に関する基本合意書をKamada社と締結。

2012年：田辺三菱製薬と米国における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。

NF- κ BデコイオリゴDNA 開発状況

椎間板性腰痛症を対象疾患とした、 NF-κBデコイオリゴDNAの開発を進めています。

NF-κBは炎症や免疫が活性化する際、
活性酸素による酸化ストレスなどの刺激が外部から与えられた時に、
細胞が炎症反応や免疫反応を引き起こすために活性化する主要な転写因子です。

炎症を引き起こす遺伝子がNF-κBにより過剰に活性化されると、
アトピー性皮膚炎や喘息などのアレルギー・免疫関連の疾患を悪化させることが指摘されています。

「おとり」として「NF-κBデコイ」を体内に多数入れることによって
「NF-κB」と炎症を引き起こす遺伝子の転写調節配列との結合が妨げられます。

米国での後期第 I 相臨床試験の患者投与完了 経過観察後の試験結果を発表（安全性・有効性を確認）



対象疾患	椎間板性腰痛症
患者数	577万人（米国）（出典： https://hpi.georgetown.edu/backpain 及びPain Med. 2015,16(8):1490-9）
開発状況	米国で後期第 I 相臨床試験で25例の患者投与が完了（2020年2月）。試験結果を公表（安全性・有効性を確認）。

2021年4月：後期第 I 相臨床試験の試験結果（観察期間12か月間）を発表。

2021年2月：後期第 I 相臨床試験の試験結果（観察期間6か月間）を発表。

2020年2月：25例の患者投与が完了。

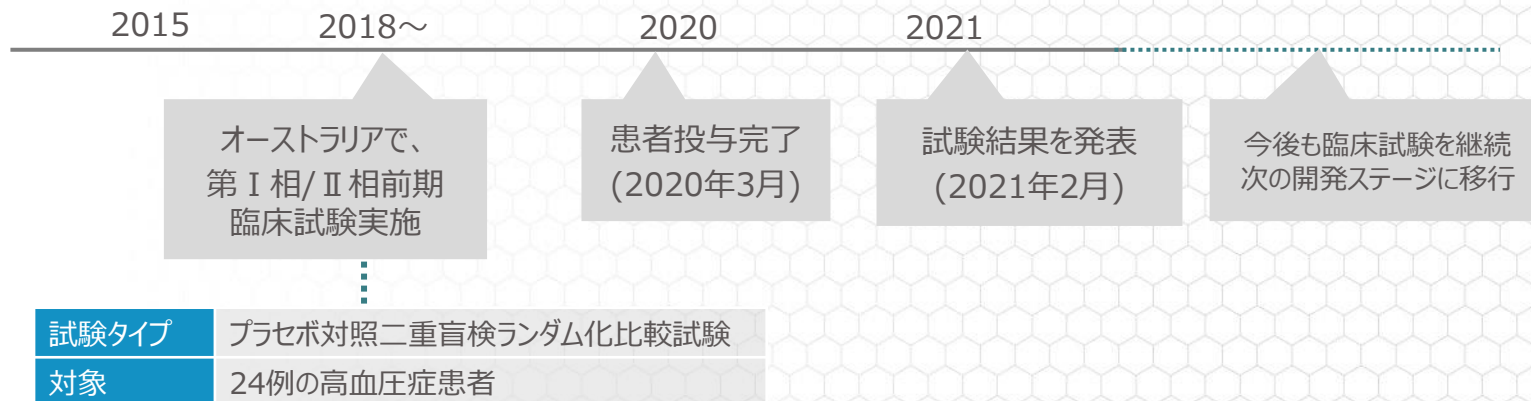
2018年2月：米国にて後期第 I 相臨床試験を開始。

※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。

高血圧DNAワクチン 開発状況

第 I 相/前期第 II 相臨床試験の患者投与完了。 経過観察後の試験結果を発表（安全性に問題なし）



対象疾患	高血圧
患者数	6,146万人（米国）（出典：AHA(https://www.ahajournals.org/doi/epub/10.1161/CIR.0000000000000757)
開発状況	第 I 相/前期第 II 相臨床試験の患者投与が完了（2020年3月）。試験結果を公表（重篤な有害事象は無く、安全性に問題なし）。次のステージの臨床試験開始に向け準備中。

2021年2月：第 I /前期 II 相臨床試験の試験結果を発表。

2020年3月：第 I /前期 II 相臨床試験の患者投与が完了。

今後、二重盲検下で約6ヶ月間の安全性と有効性を評価。
その後約6ヶ月の非盲検下で長期安全性および有効性を評価

2018年4月：オーストラリアにて第 I 相/ II 相前期臨床試験を開始。

新型コロナウイルスDNAワクチン 開発状況

高用量製剤での接種量を増やした第 I / II 相臨床試験のデータ分析中

国際標準に準じた治験結果の判断が必要であり、海外の機関で調査(分析)中



対象疾患	新型コロナウイルス感染症
開発状況	高用量製剤での第 I / II 相臨床試験 全接種完了。現在データ分析中。

- 2021年11月 : 高用量製剤での第 I / II 相臨床試験接種完了。
- 2021年8月 : 高用量製剤での第 I / II 相臨床試験接種開始。
- 2021年3月 : 第 II / III 相臨床試験全接種完了。
- 2020年10月 : 第 I / II 相臨床試験全接種完了。
- 2020年3月 : 大阪大学と共同でコロナウイルスの予防用DNAワクチン開発を開始。
ワクチンの原薬完成、非臨床試験開始。

変異株ワクチンの承認フローについて

PMDA 発表のガイドライン

変異株ワクチンの承認に関しては、PMDAより発表された「変異株に対するワクチンの評価について」のガイドラインに沿って行います。

変異株ワクチンの承認ステップ

親ワクチンの開発・治験

承認

変異株ワクチンの開発・治験

- ①国内で新型コロナウイルス感染症予防ワクチンの承認を取る（親ワクチン）
- ②親ワクチン承認後に変異株ワクチンの承認へ向けて進められる

詳しくはPMDAの資料をご覧ください。

「新型コロナウイルス（SARS-CoV-2）ワクチンの評価に関する考え方（補遺 1）変異株に対するワクチンの評価について」

<https://www.pmda.go.jp/files/000240283.pdf>

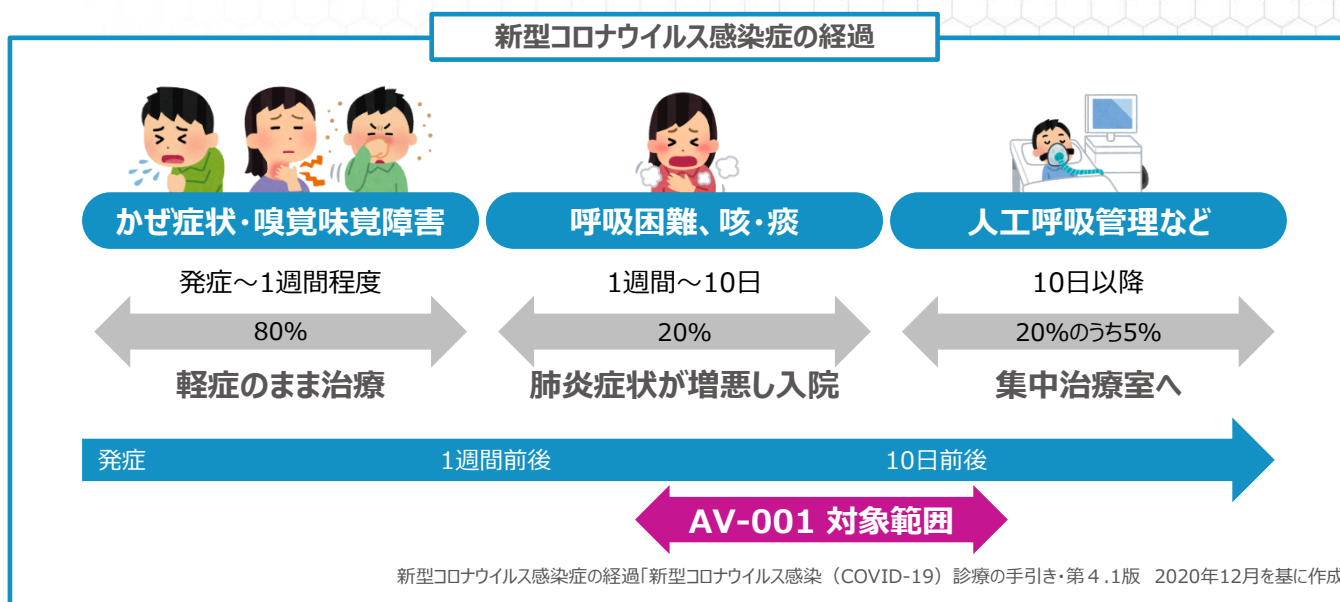
Tie2チロシンキナーゼ受容体アゴニスト (AV-001)

Tie2チロシンキナーゼ受容体アゴニスト 「AV-001」とは

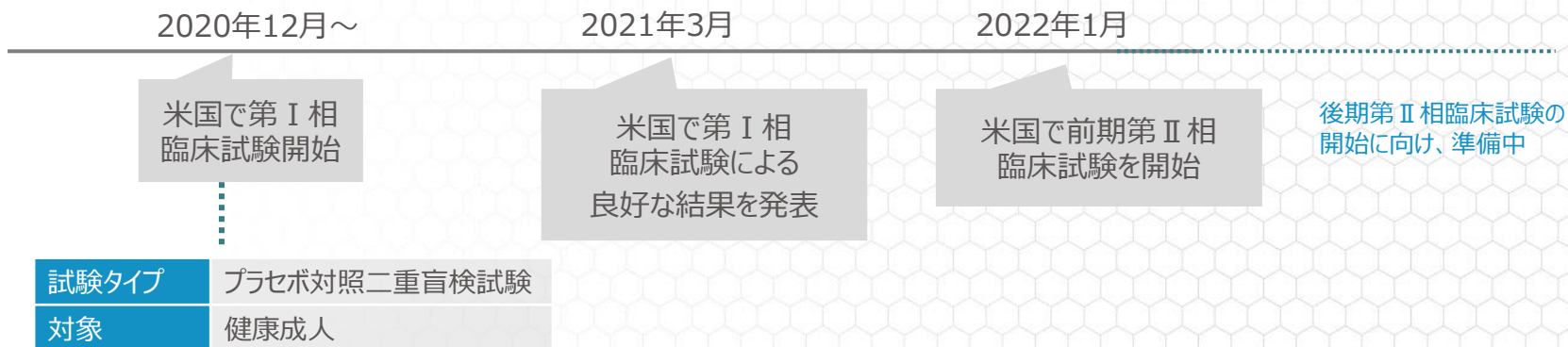
カナダのバイオ医薬品企業である**Vasomune社と共同開発**を進めている、AV-001。

もともと2018年より、全世界を対象に、
急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患を対象とした医薬品として共同開発を実施してきました。

新型コロナウイルス感染症における、**中等度から重度のCOVID-19肺炎患者の治療薬**としても、
2020年より米国で臨床試験を開始しました。



前期第Ⅱ相臨床試験 実施中



対象疾患	新型コロナウイルス感染症・急性呼吸窮迫症候群
患者数	急性呼吸窮迫症候群：26万人（米国）（出典：Am J Resp Crit Care Med, Volume 195 Number 7）
開発状況	Tie2受容体アゴニスト化合物（COVID-19治療薬）「AV-001」 米国で前期第Ⅱ相臨床試験を実施中

- 2021年3月：COVID-19治療薬AV-001：米国で第Ⅰ相臨床試験による良好な結果を発表
Vasomune社がCOVID-19治療薬「AV-001」開発でカナダ政府から助成金を獲得。
- 2020年12月：COVID-19治療薬AV-001：米国で第Ⅰ相臨床試験開始。
第Ⅰ相臨床試験ではAV-001の安全性と忍容性を確認。
- 2018年7月：バソミュン・セラピューティクス社（カナダ）と「AV-001」共同開発を開始。
対象疾患：急性呼吸不全など血管の不全を原因とする疾患

希少疾患治療薬「ゾキンヴィ」

(一般名：ロナファルニブ)

2022年5月11日（水）

**“Eiger BioPharmaceuticals Inc.との
希少疾患治療薬ゾキンヴィに関する
日本における販売契約締結”
についてお知らせいたしました。**

本件の発表につきましてはホームページにリリースをアップしております。

https://www.anges.co.jp/pdf_news/public/DiipV5RYWCiDkMFNyS2g4V6ngTURC2j7.pdf

補足説明を当社HPのブログ(2022.6.7)に掲載しております。

<https://www.anges.co.jp/blog/detail.php?p=100507>

「ゾキンヴィ」について

対象疾患

「**早老症**」といわれる「**ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）**」と「**プロジェロイド・ラミノパシー（PL）**」を適応症としています。

※早老症：老化の徴候が実際の年齢よりも早く、全身にわたってみられる疾患の総称。
実年齢よりも老化が進む症状が見られるため"早老症"と呼ばれます。

※米国での調査データによる

ゾキンヴィの有効性・安全性

◆有効性

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）の患者において、
死亡率を60%減少させ、平均生存期間を2.5年延長させるというデータがあります。

◆安全性

多くのプロジェリア患者が10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、
報告された副作用は嘔吐、下痢、悪心などが多く、そのほとんどが軽度または中等度のものです。

なぜ、アンジェスはゾキンヴィの取り組みを始めたのか

当社の事業目的として、「**治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などを対象にした革新的な医薬品の開発を通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、そのためにも国際的に通用する革新的な医薬品を少しでも早く患者様にお届けすることを目指して**」おり、この事業目標に合致する製品であるからです。

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所です。

希少遺伝性疾患

- ・患者数が極めて少ない遺伝病
(フェニルケトン尿症、ムコ多糖症、デュシェンヌ型筋ジストロフィー等)
- ・発症早期、望ましくは発症前の治療開始が重要

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー



「一般財団法人希少疾患の医療と研究を推進する会 (CReARID)」が提供する有償検査 (オプションスクリーニング) の検査業務を受託しております。

- ・2021年4月設立
- ・CReARIDと連携してオプションスクリーニングを開始 (2021年7月)
- ・現在、年間で約1万件の検査を実施
- ・今後はさらに検査できる疾患を拡大し、検査の受託先を広げていく予定です。

新生児を対象とした検査

マススクリーニング

- ・日本出生の全新生児に無償で実施
(フェニルケトン尿症、先天性甲状腺機能低下症等)

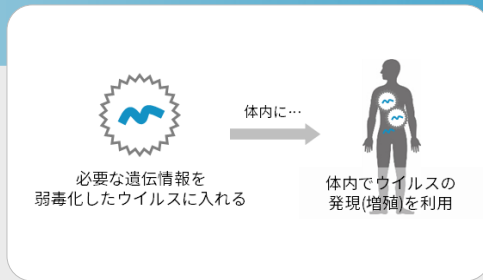
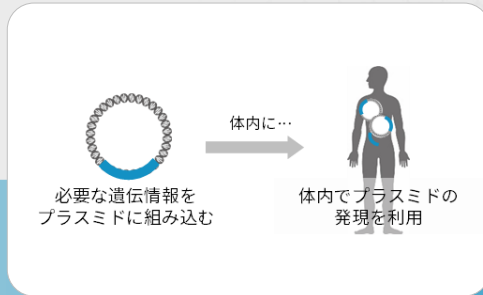
有償の追加検査

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患
(ポンペ病、ムコ多糖症等)

ゲノム編集 EmendoBio社の開発状況

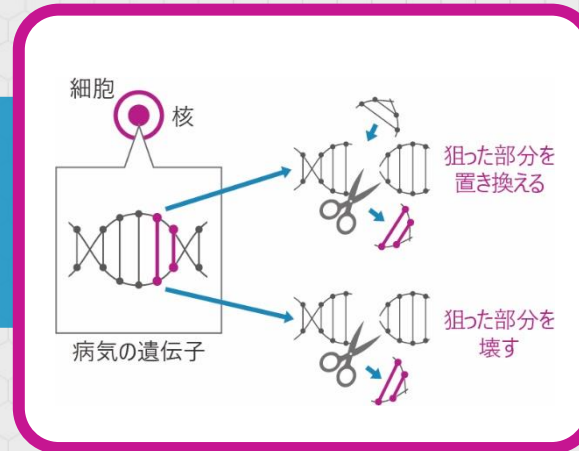
遺伝子治療の次のステージ

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、思い通りに遺伝子を改変する技術。

★CRISPR/Cas9 クリスパークラスニン

(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新的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。

A T G C T T A A G C T
T A C G A A T T C G A

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA

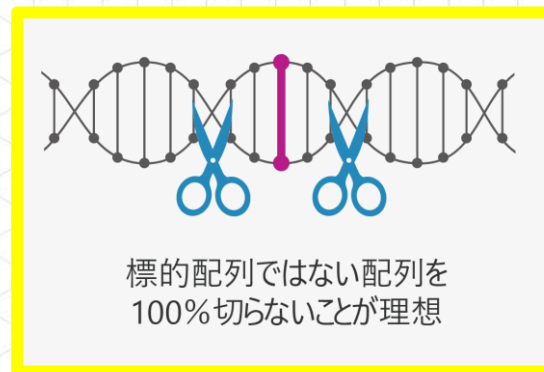
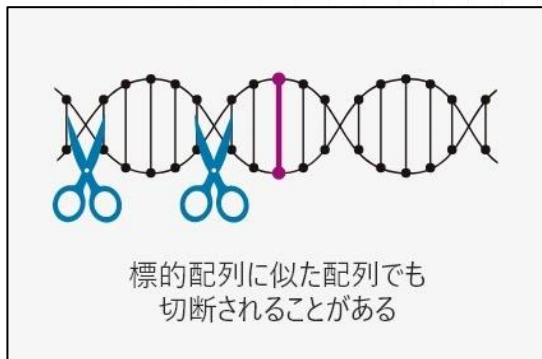


③誘導された場所の
特定の場所を切り取る。

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。



オフターゲット効果を回避することが重要

オフターゲット効果低減のために、

- ゲノム内に標的配列に類似した配列がないか検索
- 類似配列が存在する標的は避け、別の標的配列を探す



これまでの技術では、狙った遺伝子と違うところを切ってしまう
“オフターゲット効果”が懸念されていましたが、
Emendo社の技術では、ヌクレアーゼを改良し、オフターゲット効果のない、
安全性の高いゲノム編集の確立と医療への応用を目指しています

OMNI nuclease

①塩基配列を読み取る

A T G C T T A A G C T
T A C G A A T T C G A

②特定の場所を探し出す

ガイドRNA



③より精度高く、誘導された特定の場所を切り取る。

独自のヌクレアーゼ（酵素）

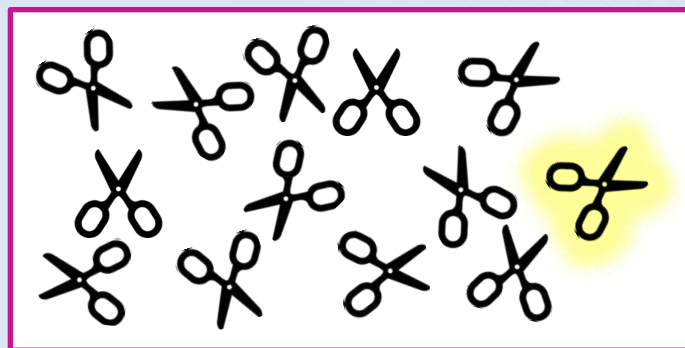


独自の探索技術（開発プラットフォーム）を確立

オフターゲット効果の回避が可能に

OMNIヌクレアーゼを数多く作出

疾患に合わせた治療戦略の構築



適切なヌクレアーゼを選択

標的配列に対して
さらに最適化

オフターゲット効果の回避、
アレル特異的遺伝子の編集が
可能となるよう、
さらに精度を上げる。

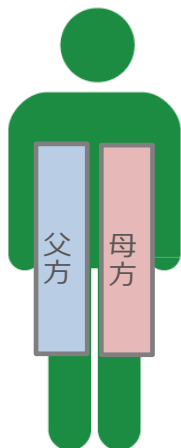
OMNI Platformの確立

Emendo社では、新たな特徴を持ったOMNIヌクレアーゼを数多く作出し、
数多くのOMNIヌクレアーゼの中から適切なヌクレアーゼを選択して、
それをさらに標的配列に対して最適化します。

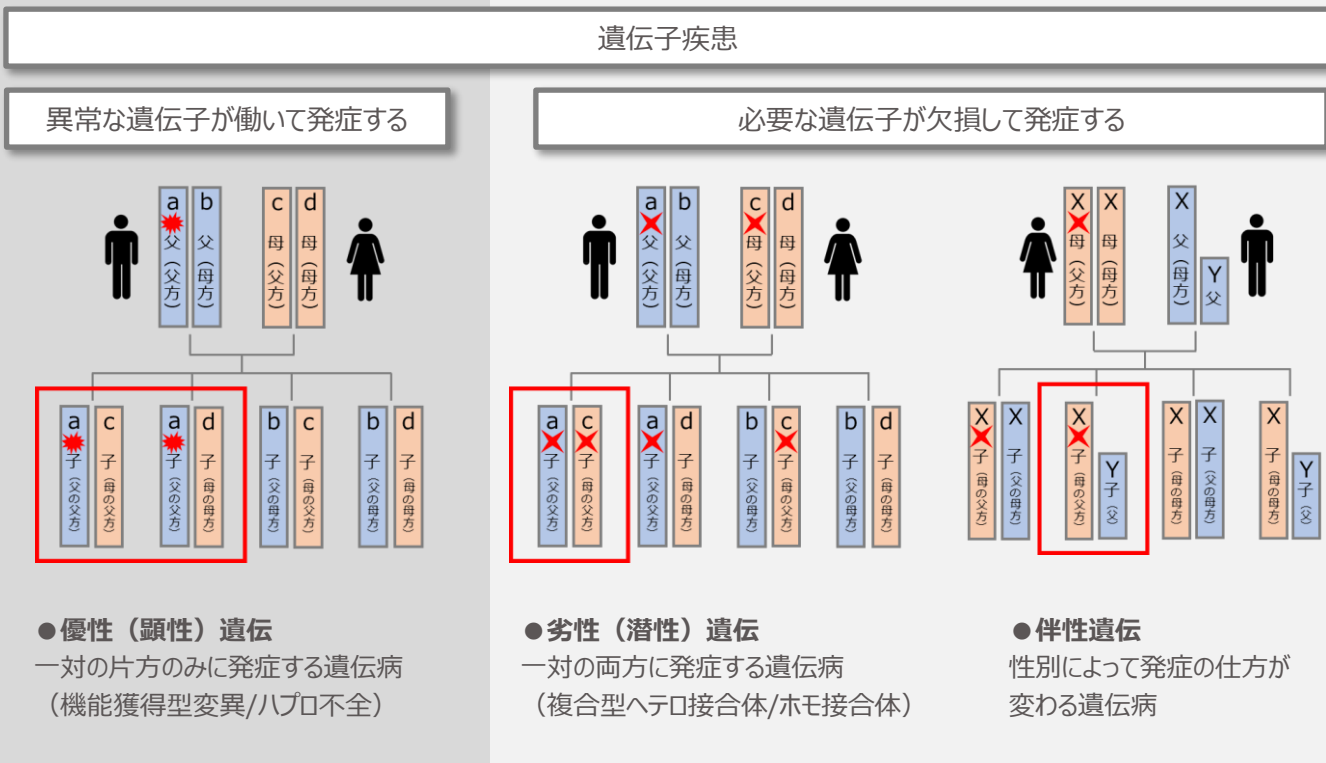
新たなヌクレアーゼの探索とその最適化技術によって、安全で有効な治療の開発を進めています。

人は基本的に同じ塩基配列の父方と母方の対をなす遺伝子を持っています

アレル (対立遺伝子)



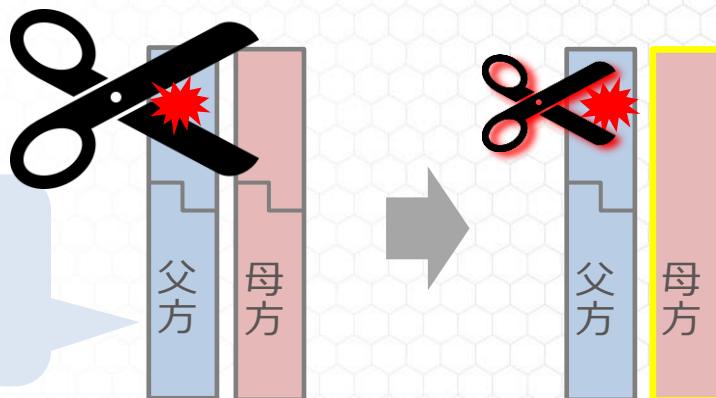
塩基配列が同じ、
二つの対立遺伝子を持っている



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、父方か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。

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、
異常のある遺伝子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
編集しようとする時、
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社では、
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社は、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**顕性遺伝性疾患**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。

Emendo社の新たなゲノム編集ツールを作出する技術（**OMNI Platform**）を活用し、
ELANE関連重症先天性好中球減少症（SCN）を対象に、
臨床入りを目指します。

【対象疾患】

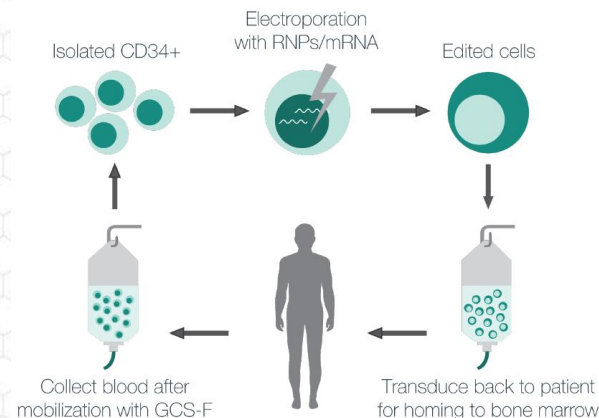
■ ELANE(好中球エラスターゼ遺伝子)関連重症先天性好中球減少症(SCN)

※骨髄における顆粒球系細胞の成熟障害により発症する
好中球減少症であり、中耳炎、気道感染症、蜂窩織炎、
皮膚感染症を反復し、時に敗血症も発症。

NEW

2022年6月には、
世界最大の遺伝子治療及び細胞治療の研究者の団体の
ジャーナルに掲載された論文を自社HPでも公開

正常な遺伝子には傷をつけず、ほとんど同じ配列を持つ異常な
遺伝子のみを正確に区別して破壊し、
その結果、造血幹細胞が好中球に分化できるようになったこと
を確認しました



がん

etc.

眼科

etc.

皮膚科

神経系

厳密な発現調節を
要する遺伝子疾患

治療法のない常染色体
顕性遺伝性疾患

etc.

免疫疾患

etc.

血液系

循環器系

etc.

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



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

參考資料

アンジェスの経営理念

治療法がない疾病分野や
難病、希少疾患などを対象にした
革新的な遺伝子医薬の開発・実用化を通じて、
人々の健康と希望にあふれた暮らしの実現に貢献する。

3 すべての人に
健康と福祉を



保健【健康的な生活の確保】

世界中すべての人が適切な予防、そして治療が受けられるように、医療に関する研究開発への積極的な支援や、質が高く安価な医薬品が世界中に行き届くような体制を整えることが大切。

12 つくる責任
つかう責任



つくる責任 つかう責任

持続可能な消費と生産のパターンを確保する

9 産業と技術革新の
基盤をつくらう



産業と技術革新の基盤をつくらう

強靱なインフラを整備し、包摂的で持続可能な産業化を推進するとともに、技術革新の拡大を図る

17 パートナーシップで
目標を達成しよう



パートナーシップで目標を達成しよう

持続可能な開発に向けて実施手段を強化し、グローバル・パートナーシップを活性化する

希少疾患とは？

患者数が極めて少ない疾患通常、糖尿病や心疾患などの、より一般的な疾患と比較してと定義され、多様性のある疾患群をいう。

希少疾患は重度で慢性的な症状である傾向があり、多くの場合、進行性かつ衰弱性で生命を脅かす疾患である。

※IFPMA 2017年作成資料「希少疾患」より作成

希少疾患の患者数はどれくらいか？



世界全体で
3億5,000万人

希少疾患の原因は何か？



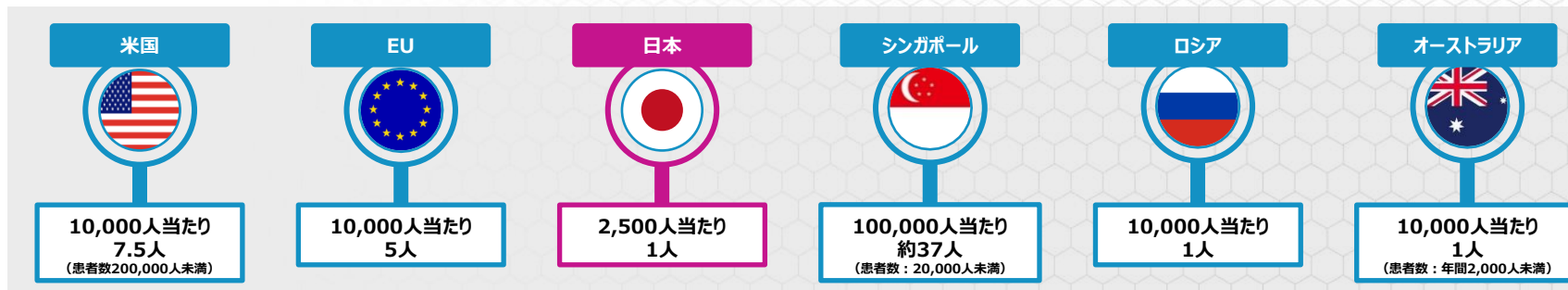
希少疾患の
80%は遺伝性

希少疾患の種類はどれくらいか？

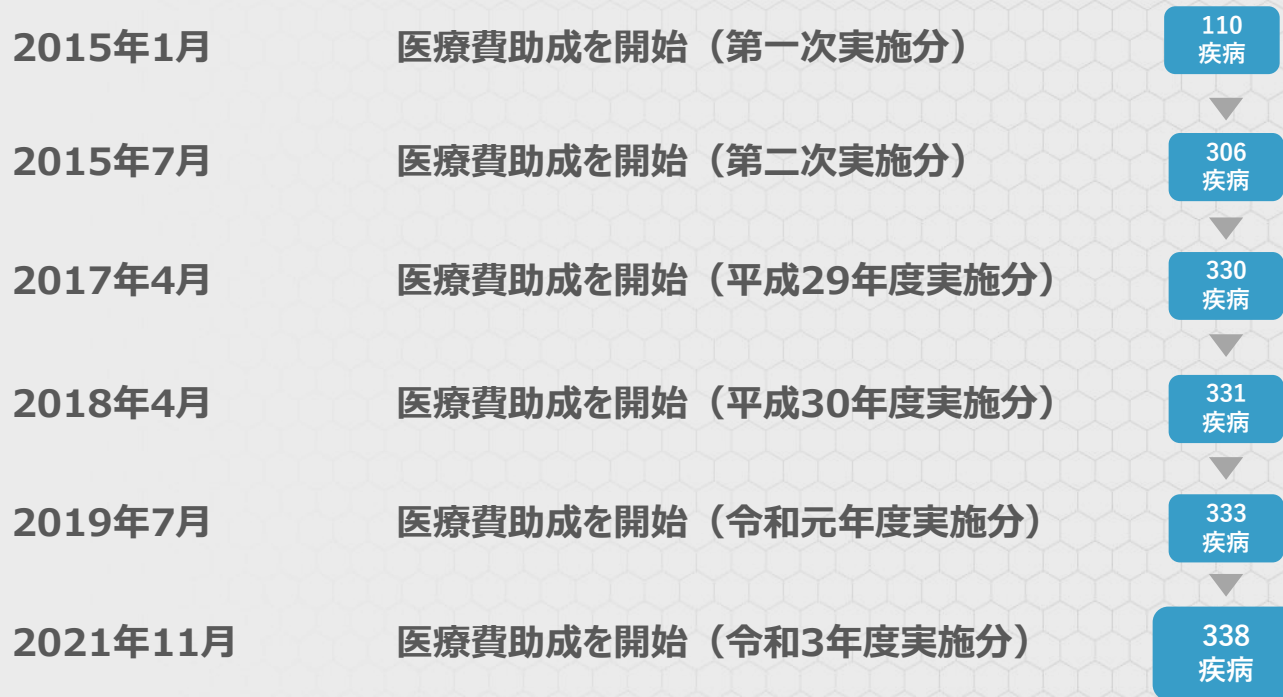


希少疾患は
5,000～8,000種類

表 - 希少疾患と定義される国別の有病率（人口当たりの患者数）

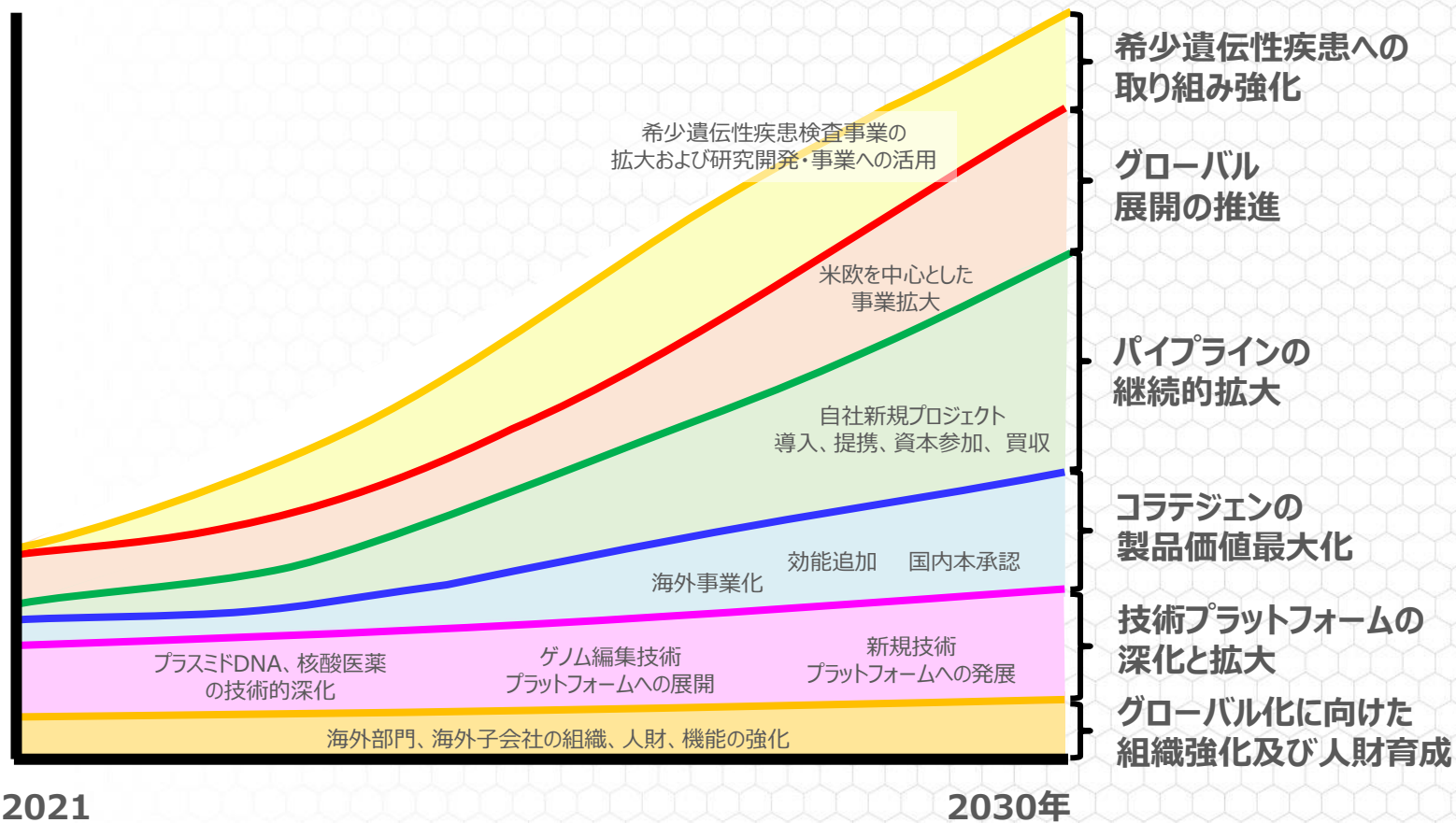


難病に指定される疾病の数は増えている

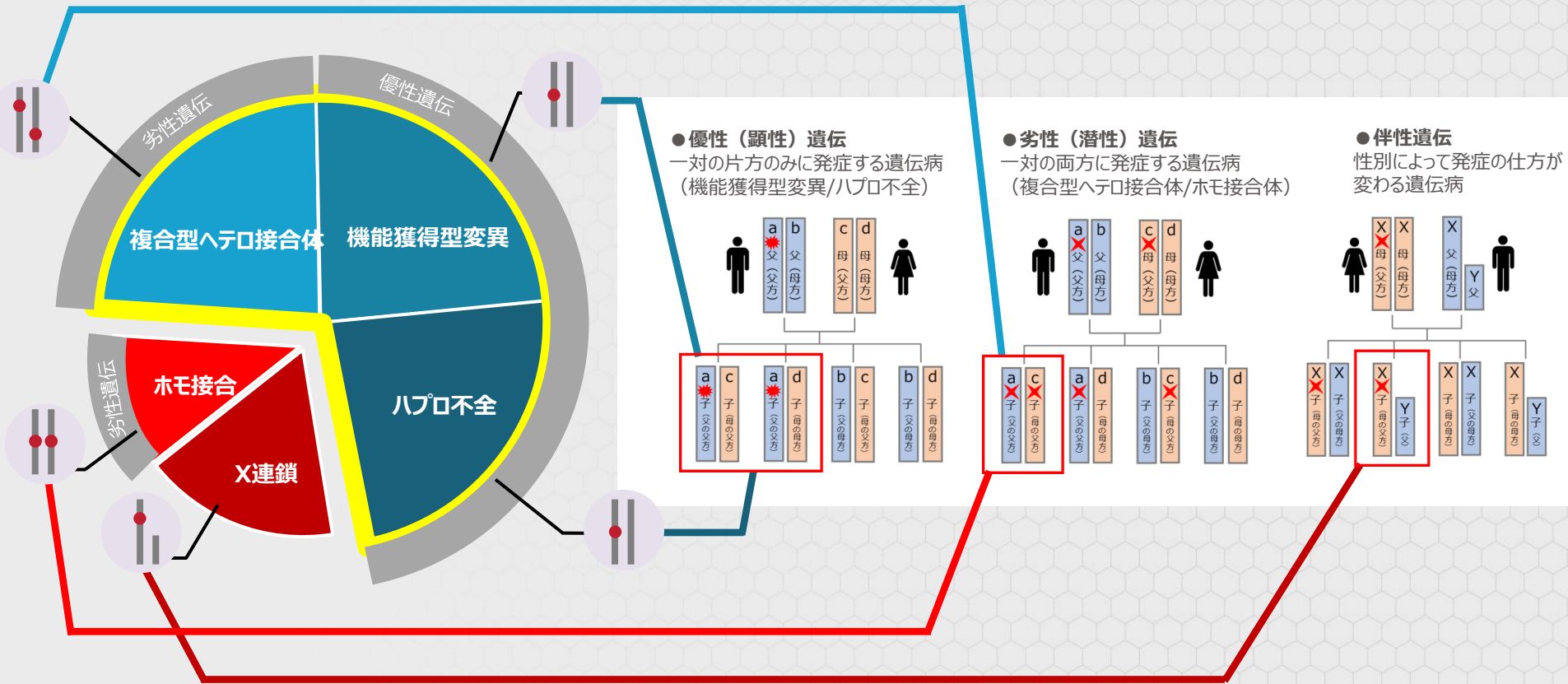


成長戦略

アンジェスの
バリュー

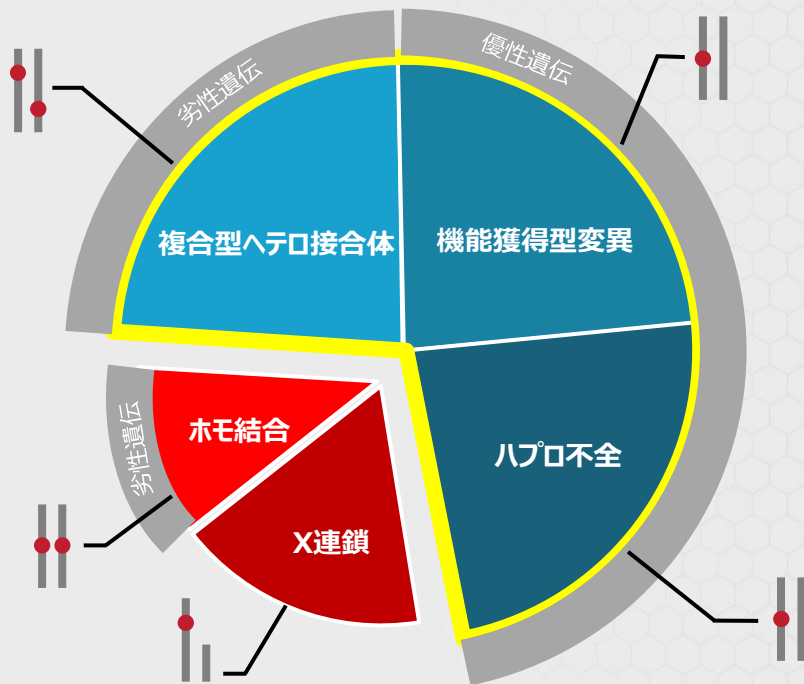


黄色い枠線で囲われている遺伝子疾患がアレル特異的遺伝子編集の対象

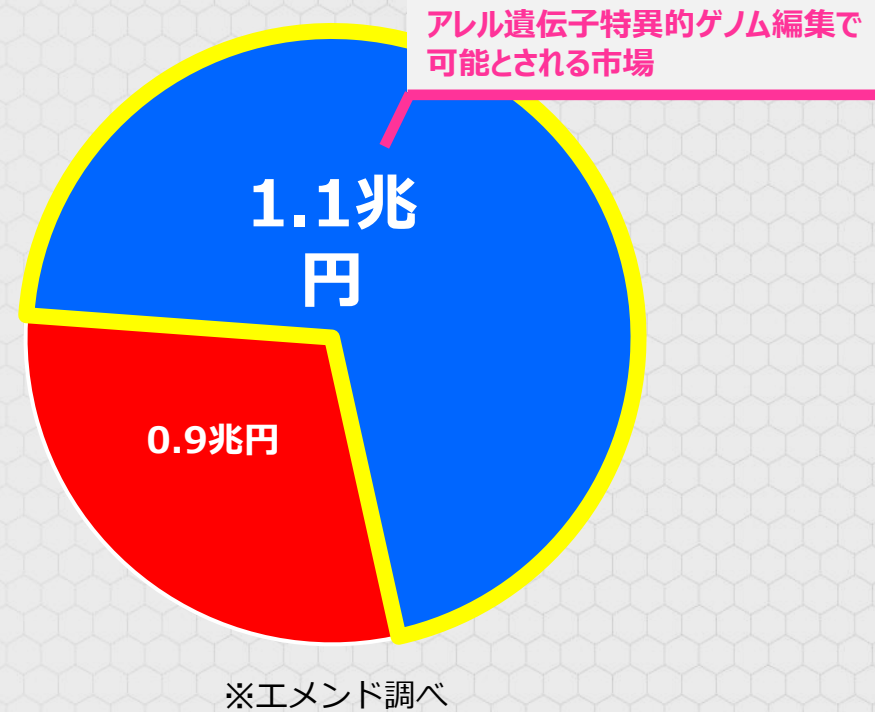


見込まれる適応症と市場規模

遺伝子疾患



市場規模



「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



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