



AnGes

アンジェス株式会社
2022年12月期 決算説明

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2023年2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 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

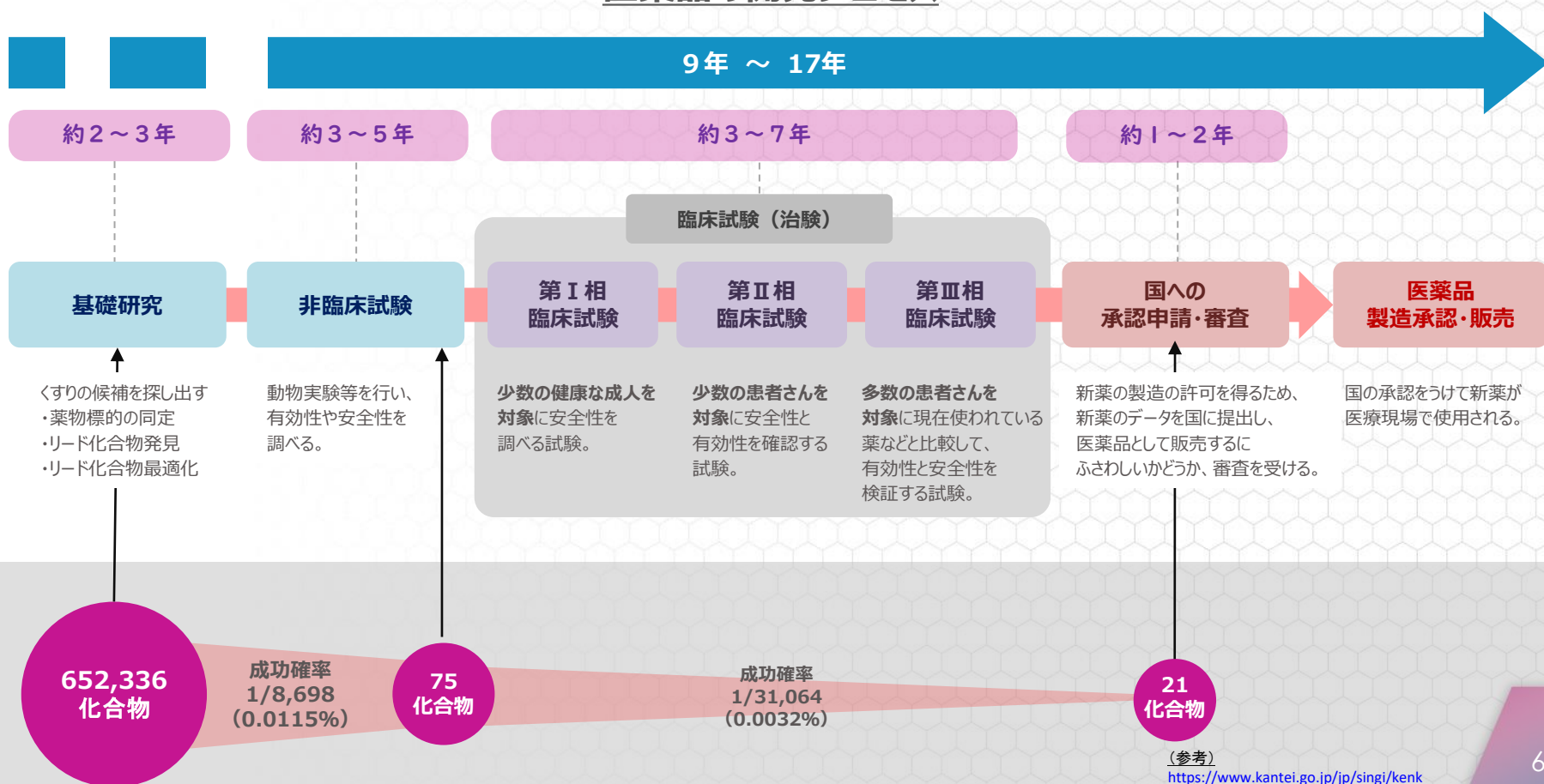
当社は、遺伝子医薬や治療ワクチンといった次世代バイオ医薬を
創製する先端技術を基盤に、
治療法がない疾病分野や難病、**希少疾患**などを対象にした
革新的な医薬品の開発を通じて、
国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、
革新的な医薬品を**少しでも早く患者様にお届けする**ことを目指しています

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



(参考)
<https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiiryu/iyakuhin/dai1/siryou2-5.pdf>

02

2022年12月期 決算サマリー

2022年度 連結業績ハイライト

(単位：百万円)

	2021年度	2022年度	増減
事業収益	64	67	3
事業費用	15,696	16,383	687
営業損失	15,632	16,316	684
営業外収支	2,043	1,706	-337
経常損失	13,588	14,610	1,022
特別損益	-146	-107	39
当期純損失	13,675	14,714	1,039

事業収益 (前年比+4.5%)

コラジェン売上 11百万 (前年34百万)
ACRL検査受託 55百万 (前年29百万)

事業費用 (前年比+4.4%)

売上原価 93百万 (前年 56百万)
研究開発費 10,999百万 (前年10,783百万)
・Emendo社のゲノム編集開発費用の増加
・コロナワクチン臨床試験の投与完了により研究開発費減少
販管費 5,290百万 (前年4,855百万)
・のれん償却 2,883百万 (前年2,407百万)
\$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131.64円 前年109.90円

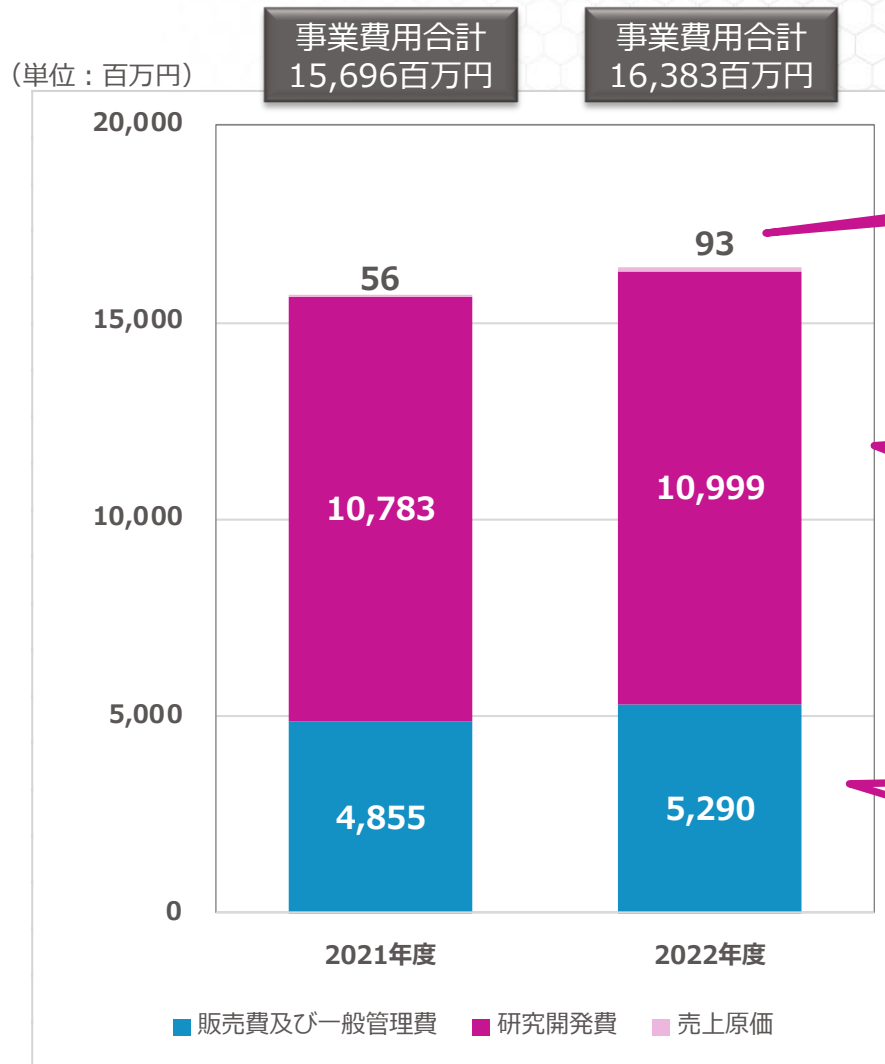
営業外収支

・補助金収入 +393百万 (前年1,500百万)
コロナワクチン開発118百万(前年1,400百万), Vasomune276(100百万)
・外貨建資産評価替による為替差益+1,322百万(前年599百万)
2022/12末1\$ = 132.70円 2021/12末 115.02円 17.68円安

特別利益/特別損失

・固定資産減損 △104百万 (前年-)
・投資有価証券評価損△6百万 (前年△179百万)

事業費用の内容



売上原価：93百万円
 (前年比 +37百万 +65.5%)
 「コラテジェン」は使用期限を迎える在庫を評価減

研究開発費：10,999百万円
 (前年比 +215百万、+2.0%)
 ① 研究材料費1,957百万 (前年比△276百万)
 コロナワクチン臨床試験の投与完了による研究材料費減少
 ② 外注費5,905百万 (前年比+354百万)
 Tie2受容体アゴニストの臨床試験拡大のため外注費の増加
 ③ 給与手当1,102百万 (前年比+286百万)
 Emendo社の人員(研究者)増加

販売費及び一般管理費：5,290百万円
 (前年比 +434百万円、△9.0%)
 ① 支払手数料855百万 (前年比△103百万)
 Emendo関連コンサルティング費用の減少
 ③ のれん償却費2,883百万 (前年比+476百万)
 円安に伴う償却費の増加 (平均為替レート1\$=131.64 前年109.90)
 (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

(単位：百万円)

	2021年12月末	2022年12月末	増減
流動資産	21,426	12,896	-8,530
うち現金及び預金	17,899	11,035	-6,864
固定資産	24,029	25,924	1,895
うち「のれん」	22,675	23,254	579
総資産	45,455	38,820	-6,635
負債	6,821	8,395	1,574
純資産	38,634	30,425	-8,209

流動資産

- 現預金 11,035百万 (前年比△6,864百万円)
事業支出に伴い前年比の減少。資金調達3,589百万
- 前渡金303百万(前年比△1,410百万)
コロナワクチンの製造関連費用の振替に伴い減少

固定資産

- のれん残高 23,254百万 (前年比+579百万)
10年償却による減価償却△2,883百万はあるも、為替円安に伴う評価替3,461百万により残高増加 (純資産の部 為替換算調整にて処理)
- リース会計 (Emendo社米国会計基準) の適用
使用権資産 1,318百万 (前年-)

負債

- 前受金 5,764百万 (前年比+644百万)
コロナワクチン開発に対するAMED・厚労省助成金の増加
- リース会計 (Emendo社米国会計基準) の適用
リース債務 1,155百万 (前年-)

純資産

- 資金調達に伴い資本金/資本剰余金+1,786百万
- 当期損失による利益剰余金のマイナス △14,714百万
- 円安に伴うのれんの評価替に伴う増加
為替換算調整 4,841百万(前年比+2,937百万)

2023年度通期業績見通し

(単位：百万円)

	事業収益	営業損益	経常損益	当期純損益
2023年度 通期 計画	190	-15,500	-9,900	-10,000
2022年度 通期 実績	67	-16,316	-14,610	-14,714
増減	123	816	4,710	4,714

2023年度 通期業績見通しにおいて、2022年度に受領し、前受金に計上していた「新型コロナウイルス感染症予防DNAワクチン開発に関する助成金」について、営業外収益としての計上を見込んでいます

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

■条件及び期限付き承認制度

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					
HGF遺伝子治療用製品 (ヘベルミノゲンペルプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶	▶	▶	▶	▶	承認済	販売中	実施中	目標症例数投与完了 申請準備中

NEW

■通常の承認制度

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 (ヘベルミノゲンペルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶ 後期実施中	▶ 目標症例数投与完了			
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶						▶ 申請中	
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	▶						▶ 申請準備中	
NF-kBデコイオリゴDNA	米国/日本	-	注射剤	腰痛症	▶	▶	▶ 完了	▶ 第Ⅱ相国内開発準備中				
DNAワクチン	オーストラリア	-	注射剤	高血圧	▶	▶	▶ 完了					
DNAワクチン	米国	-	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症 (COVID-19)	▶ 実施中							
Tie2受容体アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群	▶	▶	▶	▶ 前期実施中				
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger (導入元)	カプセル剤	早老症 HGPS・PL*	▶ 導入品						▶ 申請準備中	

*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PL」：プロジェロイド・ラミパチー

HGF遺伝子治療用製品 開発状況

“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®」

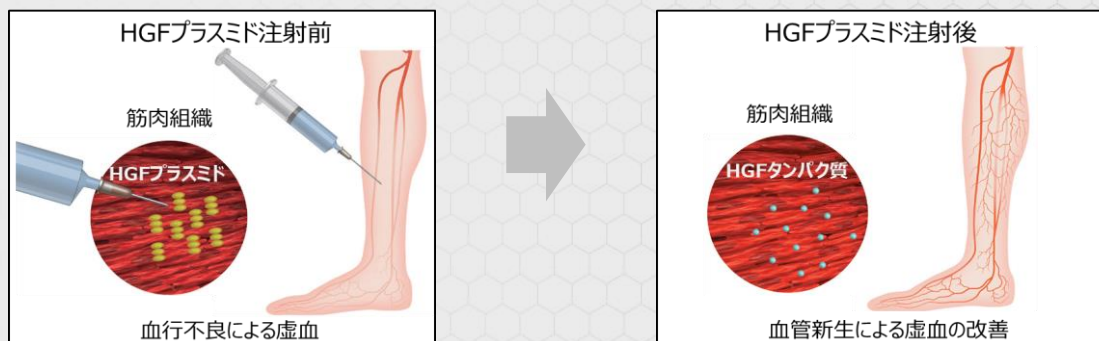
アンジェスは、2019年、**世界で初めて**プラスミドDNAを用いた
HGF遺伝子治療薬を**製品化**することに成功しました

- 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
- 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

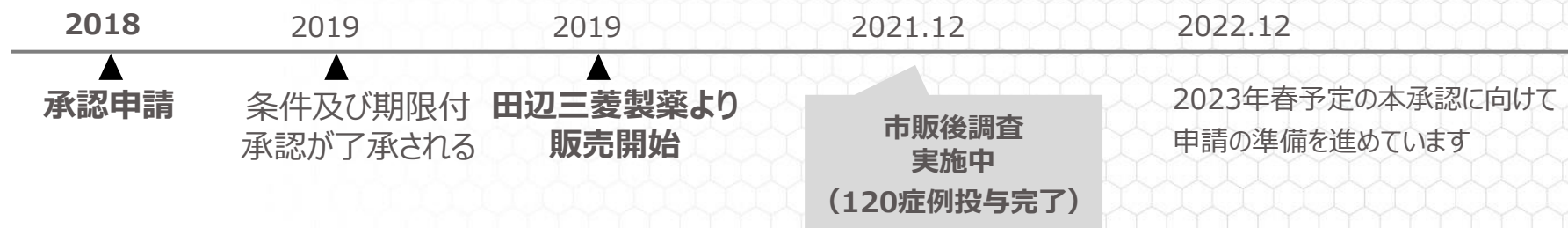
※以下3機関の承認基準
 ・FDA（米国）
 ・EMA（欧州医薬品庁）
 ・厚生労働省（日本）

* 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。

HGF遺伝子治療用製品による血管新生



本承認に向けて2023年春の申請準備中 （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症例の結果を元に、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）

2022年9月：慢性動脈閉塞症における安静時疼痛の適応追加に向けた国内開発の中止を発表。

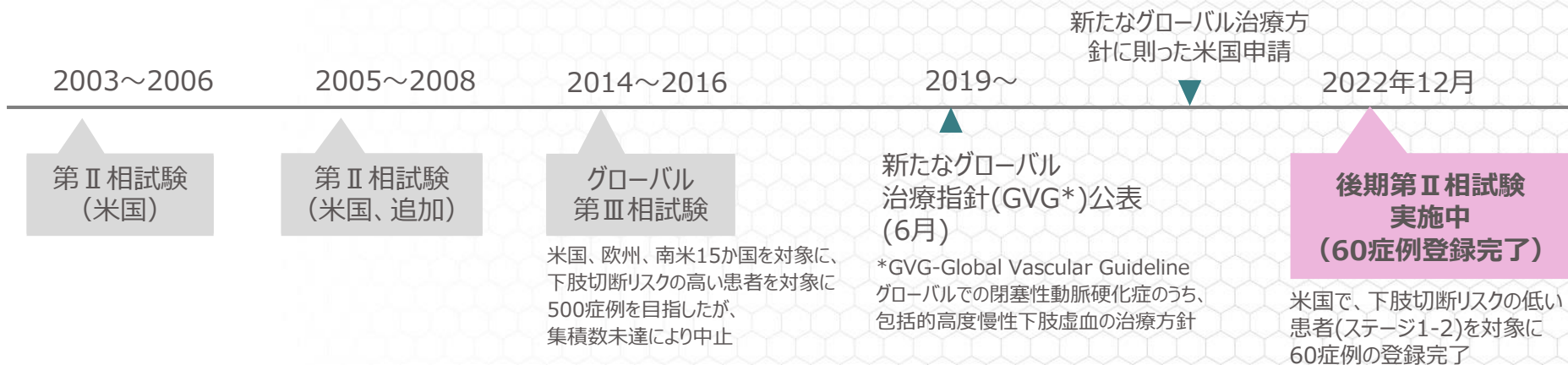
2019年9月：田辺三菱製薬より販売開始。

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。

米国にて、後期第Ⅱ相臨床試験の 目標症例数の登録が完了、経過観察中



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～） 60症例の登録完了（2022年末）

2022年：Kamada社がイスラエル保健省に製造販売承認申請を提出し、受理された。

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

NF-κB(エヌ・エフ・カッパ・ビー)デコイオリゴDNAとは

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。

当社は、椎間板性腰痛症を含む腰痛疾患の治療薬として、
2018年から開発を行っています

日本国内での第Ⅱ相臨床試験を決定



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相臨床試験の試験結果を公表（安全性・有効性を確認）。 日本国内での第Ⅱ相臨床試験を決定（2023年1月） 

2023年1月：日本国内において第Ⅱ相臨床試験を決定。

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。

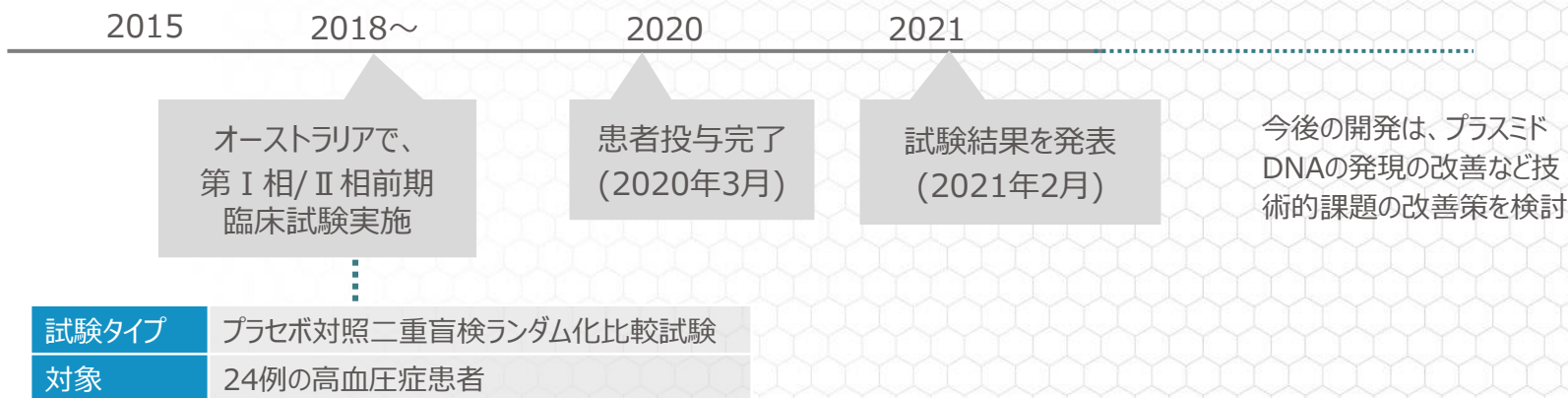
2018年2月：米国にて後期第Ⅰ相臨床試験を開始。

※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 今後の開発は、技術的な課題の改善策などを検討



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

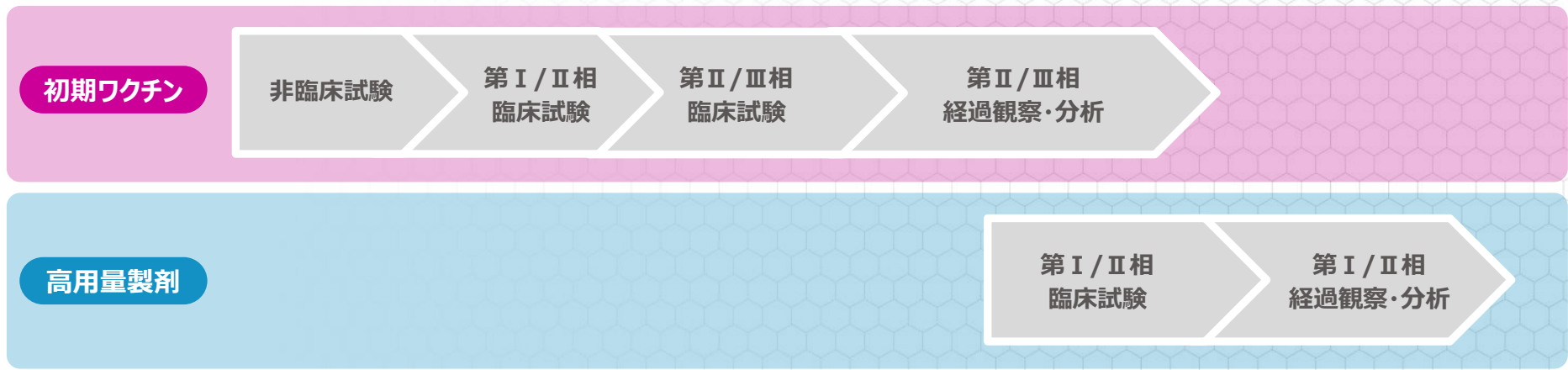
2018年4月：オーストラリアにて第 I 相 / II 相前期臨床試験を開始。

新型コロナウイルスDNAワクチン 開発状況

これまでのDNAワクチンは開発を中止し 改良型DNAワクチンを新たに開発

2020年3月に新型コロナウイルス感染症（武漢型）向けDNAワクチンの開発を決定後、初期ワクチンの非臨床試験を開始し、2021年3月までに第Ⅱ/Ⅲ相臨床試験の投与を完了。2021年8月より、初期のワクチンの薬剤濃度を上げた高用量製剤を用いた第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を実施。安全性において問題はなく、細胞性免疫においてある程度の上昇を確認したものの、液性免疫については期待する効果を得ることができず、これまでのDNAワクチン開発は中止を決定。

2020/3 2020/11 2021/3 2021/8 2021/11 2022/8



これまでのDNAワクチン

<p>安全性</p> <p>◎</p>	<p>免疫原性</p> <p>△</p>
----------------------------	-----------------------------

スタンフォード大学との取り組みについて

安全でより効果の高いワクチンのために経鼻投与製剤の研究開発

改良型DNAワクチン

プラットフォームの見直し

プラスミドの発現効率、導入効率の向上

経鼻投与製剤

広範な免疫応答を刺激し、
ウイルスの増殖防止・拡散の阻止

【経鼻投与とは】

新型コロナウイルスやインフルエンザ、風邪などの原因となるウイルスや細菌は鼻や口、喉といった「上気道」や、腸管などの「消化管」の粘膜を侵入口として体内に入り込もうとします。

上気道や消化管には感染から身を守るための「粘膜免疫」という仕組みがあり、ウイルスを迎え撃ちます。

粘膜に分泌されるタイプの「IgA」という抗体が鼻や喉にできれば感染自体を防ぐ効果が高まる可能性があり、経鼻投与では、感染部位である、気道部分に免疫を作ることが可能になります。



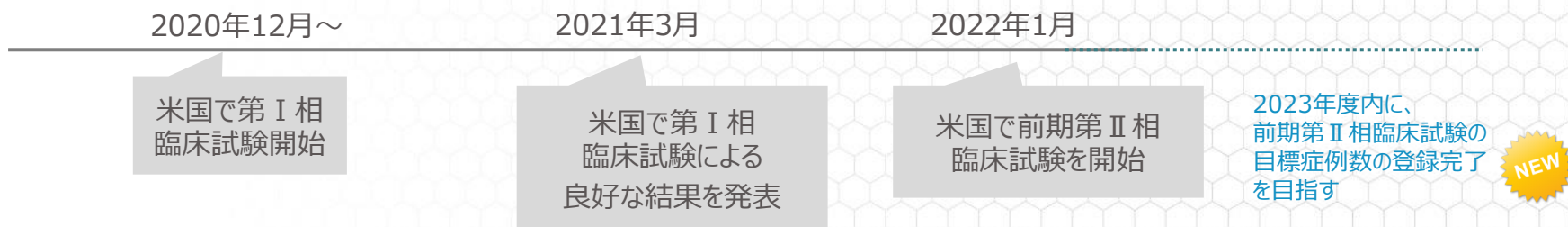
■ 共同研究契約の概要

提携先名称	スタンフォード大学
提携先所在地	アメリカ合衆国 カリフォルニア州
研究期間	概ね3年程度
研究費	概ね300万ドル

Tie2受容体アゴニスト

前期第Ⅱ相臨床試験 実施中

インフルエンザ等のウイルス性肺炎及び細菌性肺炎を含む 急性呼吸窮迫症候群（ARDS）に対象患者を拡大



米国で第Ⅰ相臨床試験開始

米国で第Ⅰ相臨床試験による良好な結果を発表

米国で前期第Ⅱ相臨床試験を開始

2023年度内に、前期第Ⅱ相臨床試験の目標症例数の登録完了を目指す

NEW

対象疾患	新型コロナウイルス感染症、インフルエンザ等のウイルス性肺炎及び細菌性肺炎を含む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 米国で前期第Ⅱ相臨床試験を実施中。 対象疾患をインフルエンザ等のウイルス性及び細菌性肺炎を含むARDSに広げるべく、米国FDAに申請し、承認を受ける。

NEW

- 2021年3月：COVID-19治療薬（Tie2受容体アゴニスト）：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治療薬開発でカナダ政府から助成金を獲得。
- 2020年12月：Tie2受容体アゴニスト：米国で第Ⅰ相臨床試験開始。
- 2018年7月：バソミュン・セラピューティクス社（カナダ）とTie2受容体アゴニスト共同開発を開始。

希少疾患治療薬「Zokinvy」

(一般名：ロナファルニブ)

薬事承認・薬価収載を目指し、国内承認取得の準備中

2022年5月

**Eiger社と
Zokinvyに関する
日本における販売契約を締結**

一日も早い薬事承認・薬価収載を目指す
まず、希少疾患治療薬（オーファン・ドラッグ）の
指定を受けるための手続きを進めていく

※オーファン・ドラッグとは
患者数が少なく、治療法が確立していない難病に対する
希少疾病（きしょうしゅべい）用医薬品のこと
1993年の薬事法の改正によって、オーファン・ドラッグに対する
本格的な公的研究開発援助制度がスタート

対象疾患	ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）／プロジェロイド・ラミノパチー（PL）（早老症）
状況	オーファンドラッグの指定に向けた準備 国内承認に向けた関係機関との打ち合わせなど

2022年5月：米国の医薬品企業 Eiger BioPharmaceuticals Inc.との希少疾患治療薬Zokinvyに関する
日本における販売契約締結

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



「一般社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)

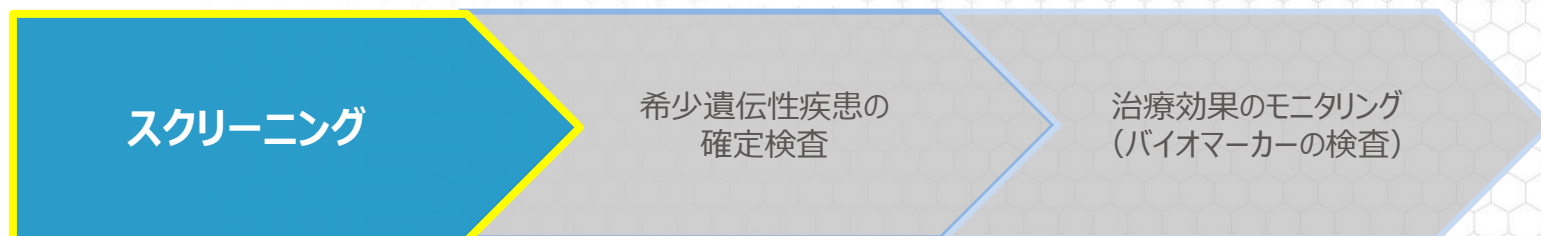
有償の追加検査

- ・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)

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL)

希少遺伝性疾患の確定検査や
治療効果をモニタリングするバイオマーカーの検査など、
希少遺伝性疾患の**診断から治療に至るまでの**
包括的な検査を実施できる体制の構築

現在



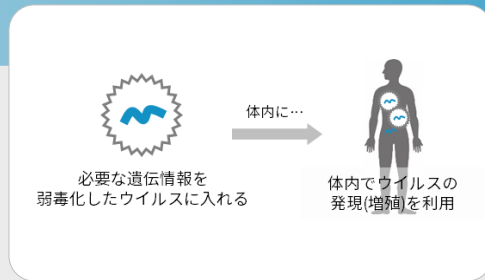
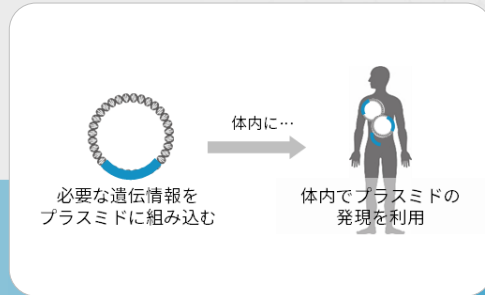
これから



ゲノム編集 EmendoBio社の開発状況

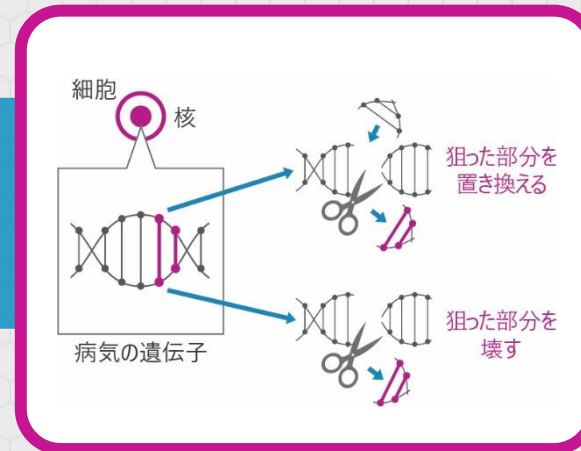
遺伝子治療の次のステージ

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)

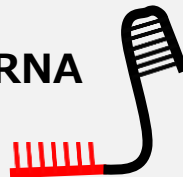
→2012年、
これまでの技術より、短時間で簡単に標的とするDNA配列を切断できる革新的な技術が登場。

①塩基配列を読み取る。

```
ATGCTTAAGCT
TACGAATTCGA
```

②特定の場所を探し出す。

ガイドRNA

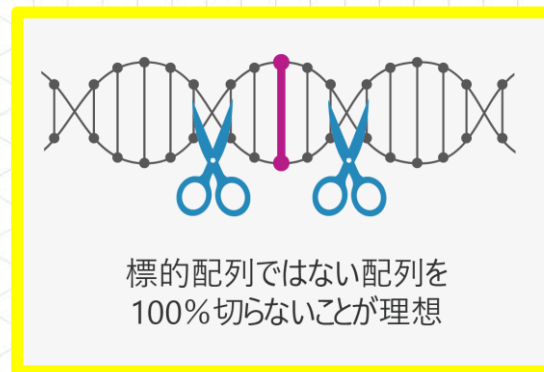
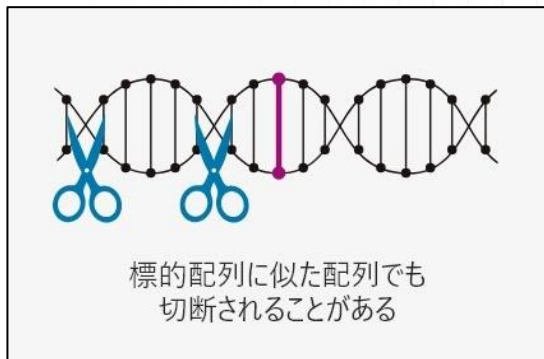


③誘導された場所の
特定の場所を切り取る。

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）

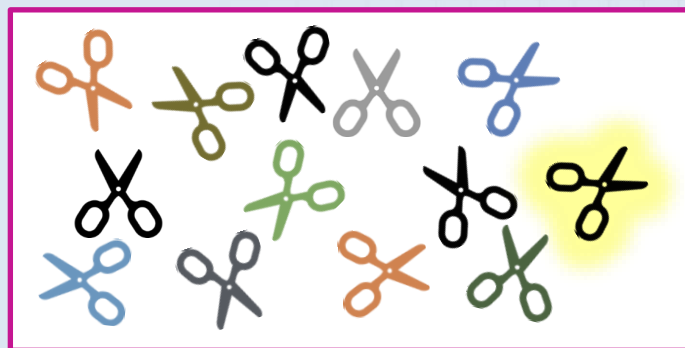


独自の探索技術（開発プラットフォーム）を確立

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

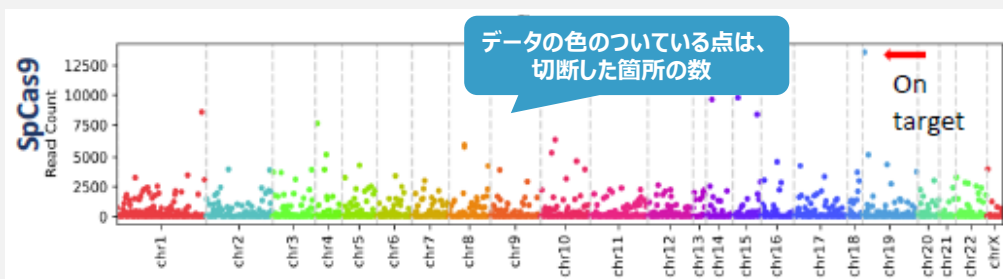
OMNI Platformの確立

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

CRISPR/Cas9
(2020年にノーベル化学賞を受賞)

オンターゲットサイト以外にも、
かなりの数の**オフターゲット**サイトが
かなり**頻度高く**見られる



■ EmendoBio社のゲノム編集技術

野生型のOMNI-A1
(最適化前)

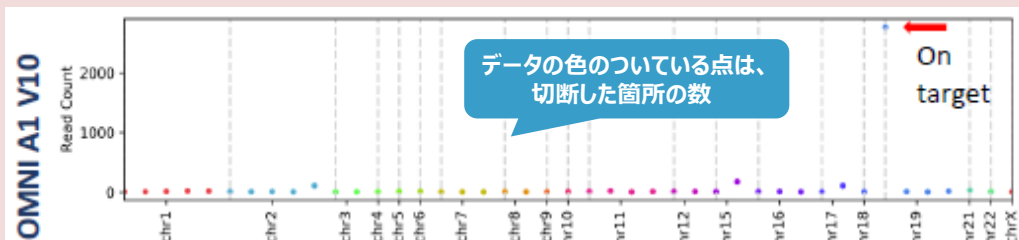
オフターゲットサイトはかなり少ないが、
オンターゲット以外の切断点も散見される



最適化 (アレル特異的遺伝子編集のさらなる最適化をAIで行う)

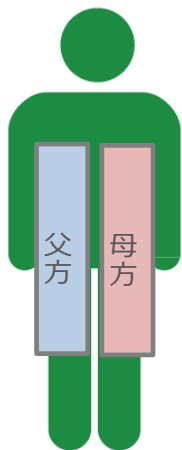
OMNI-A1-V10
(最適化後)

オンターゲット(疾患の原因となる箇所)以外は、
ほとんど切断が起こらない
⇒切るべき箇所以外の所は、余計には切っていない

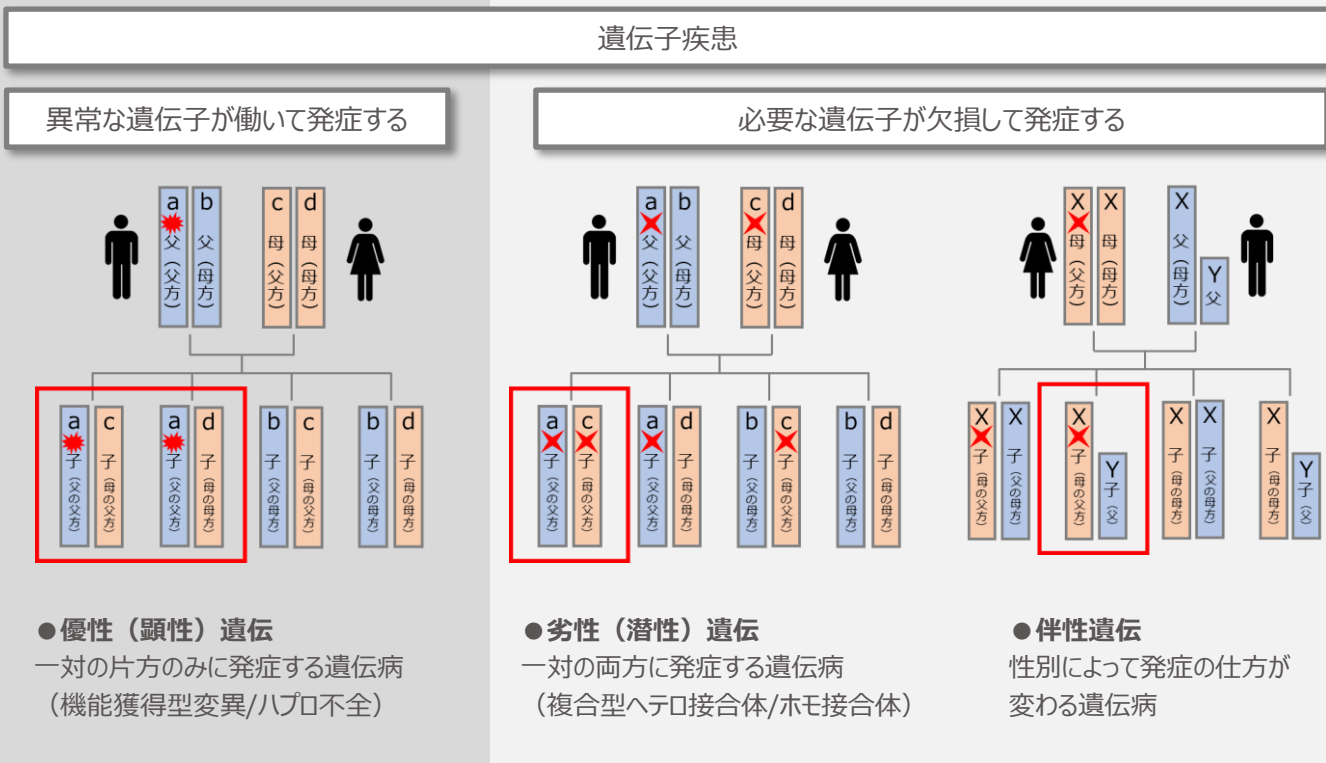


人は基本的に同じ塩基配列の父方と母方の対をなす遺伝子を持っています

アレル (対立遺伝子)



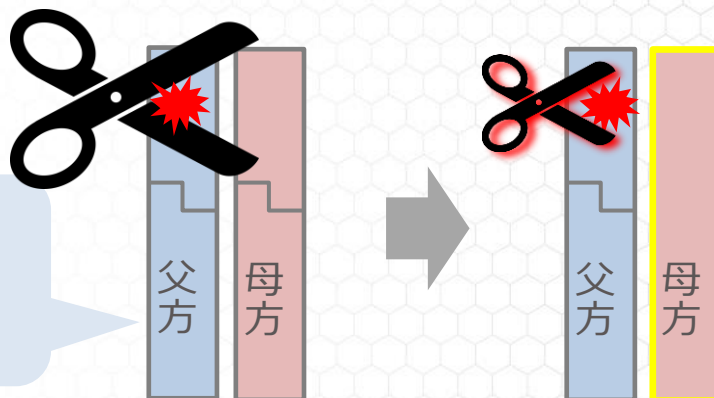
塩基配列が同じ、
二つの対立遺伝子を持っている



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、
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。

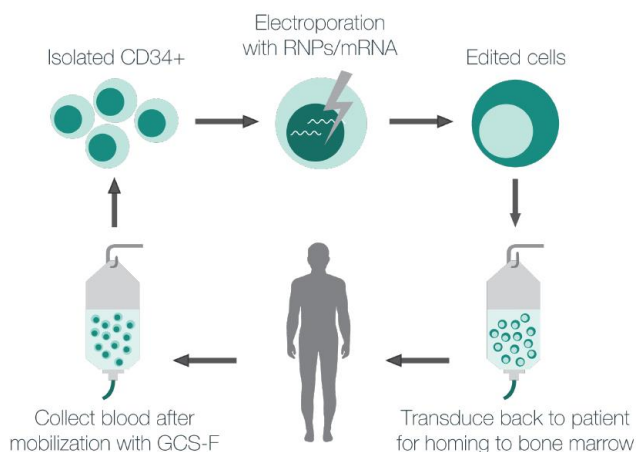
Emendo社は、独自のヌクレアーゼを安全かつ効果的な遺伝子編集を可能にする高精度に最適化することで、

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
2023年内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。

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**

1月に東京大学で開催された「第13回国際協力遺伝病遺伝子治療フォーラム」で EmendoBio社のCEO・David Baram氏がゲストスピーカーとして登壇



The 13th International Collaborative Forum of Human Gene Therapy for Genetic Disease

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>