



# AnGes

## アンジェス株式会社 会社説明会

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2023年3月

1

2022年を振り返る

2

事業別の進捗説明

3

2023年のアンジェスの指針

4

質疑応答

5

終わりに

+

補足資料

# 01

2022年を振り返る

# アンジェス 2022年度の指針



2022年度

新しい展開を考え、  
ますます発展、進化していく端緒になる年

# 2022年3月にお見せした、アンジェスの事業全体像



未だ治療法が確立されていない難病や希少疾患

ACRL : 衛生検査所 (難病や希少疾患の検査)

新しく開始

基礎研究

非臨床試験

臨床試験  
第I相

臨床試験  
第II相

臨床試験  
第III相

承認

販売

- HGF
- NF-κB
- DNAワクチン
- <新しい技術や因子>
- エメンド
- ※ナグラザイム

導出やマイルストーン収益

日本にはない薬の  
製造と販売を検討

海外商品の日本での製造・販売

新しい技術や因子の発見

常に新しい  
技術を探求

< 大手製薬企業に導出 または 大手製薬企業と提携・協業 >  
アンジェスは新しい技術や因子の発掘と育成に専念することで、  
難病に苦しむ人たちを救うためのエコシステムを実現

対象疾患医薬の実用化

# 事業全体像から見た2022~23年の主な進捗

**【日本】**  
今春の本承認に向け  
申請準備中(2023.2)

**【米国】**  
後期第Ⅱ相臨床試験の  
目標症例数の登録が完了  
(2023.3)

**【イスラエル】**  
保健省に製造販売承認  
申請を提出し、受理  
(2022.12)

事業性を見込み、  
国内で開発実施  
(2023.1)

新しい技術や因子の発見

常に新しい  
技術を探求

安静時疼痛開発中止  
(2022.9)

未だ治療法が確立されていない難病や希少疾患

検査対象の疾患や  
取引先を拡大  
(2023.2)

ACRL (希少遺伝性疾患検査のスクリーニング検査・確定検査・バイオマーカー検査)

基礎研究

臨床試験

臨床試験  
第Ⅱ相

臨床試験  
第Ⅲ相

承認

販売

武漢型コロナウイルスワクチン  
開発中止(2022.9)

スタンフォード大学と共同で  
改良型DNAワクチンを  
新たに開発中(2022.9)

- HGF
- NF-κB
- DNAワクチン
- Tie2受容体  
アゴニスト
- ゴキンビィ
- <新しい技術や因子>
- エメンド

対象疾患拡大の承認を受け、  
試験実施に向けて出資  
(2022.12)

希少疾患治療薬  
日本での販売契約締結  
(2022.5)

ゲノム編集治療  
本年中に臨床入りを  
目指す(2023.3)

イン収益

海外商品の日本での製造・販売

製薬企業に導出 または 大手製薬企業と提携・協業 >

アンジェスは新しい技術や因子の発掘と育成に専念することで、  
難病に苦しむ人たちを救うためのエコシステムを実現

対象疾患医薬の実用化

# 02

## 事業別の進捗説明

# 事業全体像から見た2022年の主な進捗

**【日本】**  
今春の本承認に向け  
申請準備中(2023.2)

**【米国】**  
後期第Ⅱ相臨床試験の  
目標症例数の登録が完了  
(2023.3)

**【イスラエル】**  
保健省に製造販売承認  
申請を提出し、受理  
(2022.12)

安静時疼痛開発中止  
(2022.9)

未だ治療法が確立されていない難病や希少疾患

ACRL (希少遺伝性疾患検査のスクリーニング検査・確定検査・バイオマーカー検査)

基礎研究    非臨床試験    臨床試験第Ⅰ相    臨床試験第Ⅱ相    臨床試験第Ⅲ相    承認    販売

■ HGF

■ NF-κB

■ DNAワクチン

■ Tie2受容体  
アゴニスト

■ ゾキンビィ

<新しい技術や因子>

■ エメンド

導出やマイルストーン収益

海外商品の日本での製造・販売

< 大手製薬企業に導出 または 大手製薬企業と提携・協業 >

アンジェスは新しい技術や因子の発掘と育成に専念することで、  
難病に苦しむ人たちを救うためのエコシステムを実現

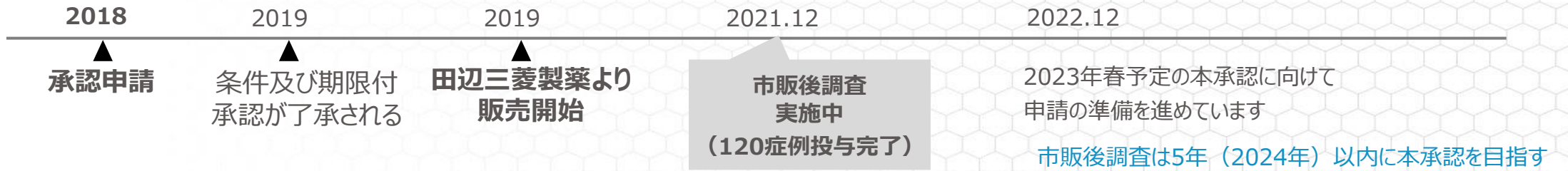
常に新しい  
技術を探求

対象疾患医薬の実用化



## 日本

### 本承認取得に向けて2023年春の申請を準備中 安静時疼痛の適応追加に向けた国内開発は中止



適応症	地域	状況	
慢性動脈閉塞症の潰瘍	日本	開発中	市販後調査の予定症例数の投与完了し本承認に向けた申請準備中
慢性動脈閉塞症の安静時疼痛		開発中止	主要評価項目でプラセボ群との有意差を見いだせず
慢性動脈閉塞症	米国	開発中	開発を継続集（目標症例数の投与完了）
慢性動脈閉塞症	イスラエル	申請中	承認申請提出
慢性動脈閉塞症	トルコ	申請準備中	申請準備中

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

重症虚血肢 13万人（日本）（出典：IMS Health調査資料）

開発状況

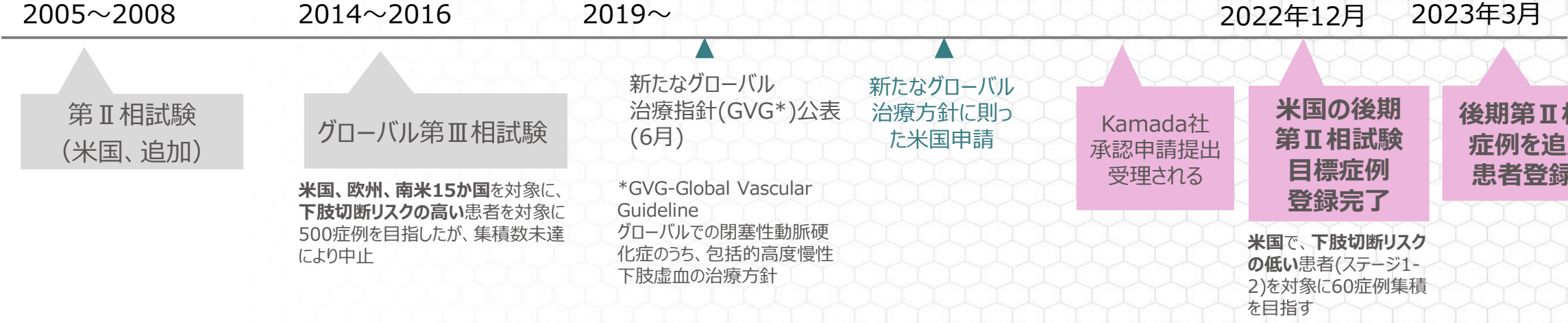
2019年9月10日より 田辺三菱製薬より販売開始  
市販後調査での120症例を元に、5年(2024年)以内に本承認を目指す（2021年12月時点で120例の投与完了）

米国

## 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

イスラエル

## Kamada社がイスラエル保健省に製造販売承認申請を提出し、受理される



対象疾患

慢性動脈閉塞症の潰瘍

患者数

重症虚血肢：100万人（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）・症例を追加し患者登録完了（2023年3月）

# 事業全体像から見た2022年の主な進捗

未だ治療法が確立されていない難病や希少疾患

ACRL (希少遺伝性疾患検査のスクリーニング検査・確定検査・バイオマーカー検査)

基礎研究

非臨床試験

臨床試験  
第I相

臨床試験  
第II相

臨床試験  
第III相

承認

販売

事業性を見込み、  
国内で開発実施  
(2023.1)

■ HGF

■ NF-κB

■ DNAワクチン

■ Tie2受容体  
アゴニスト

■ ゾキンビィ

<新しい技術や因子>

■ エメンド

導出やマイルストーン収益

海外商品の日本での製造・販売

< 大手製薬企業に導出 または 大手製薬企業と提携・協業 >

アンジェスは新しい技術や因子の発掘と育成に専念することで、  
難病に苦しむ人たちを救うためのエコシステムを実現

常に新しい  
技術を探求

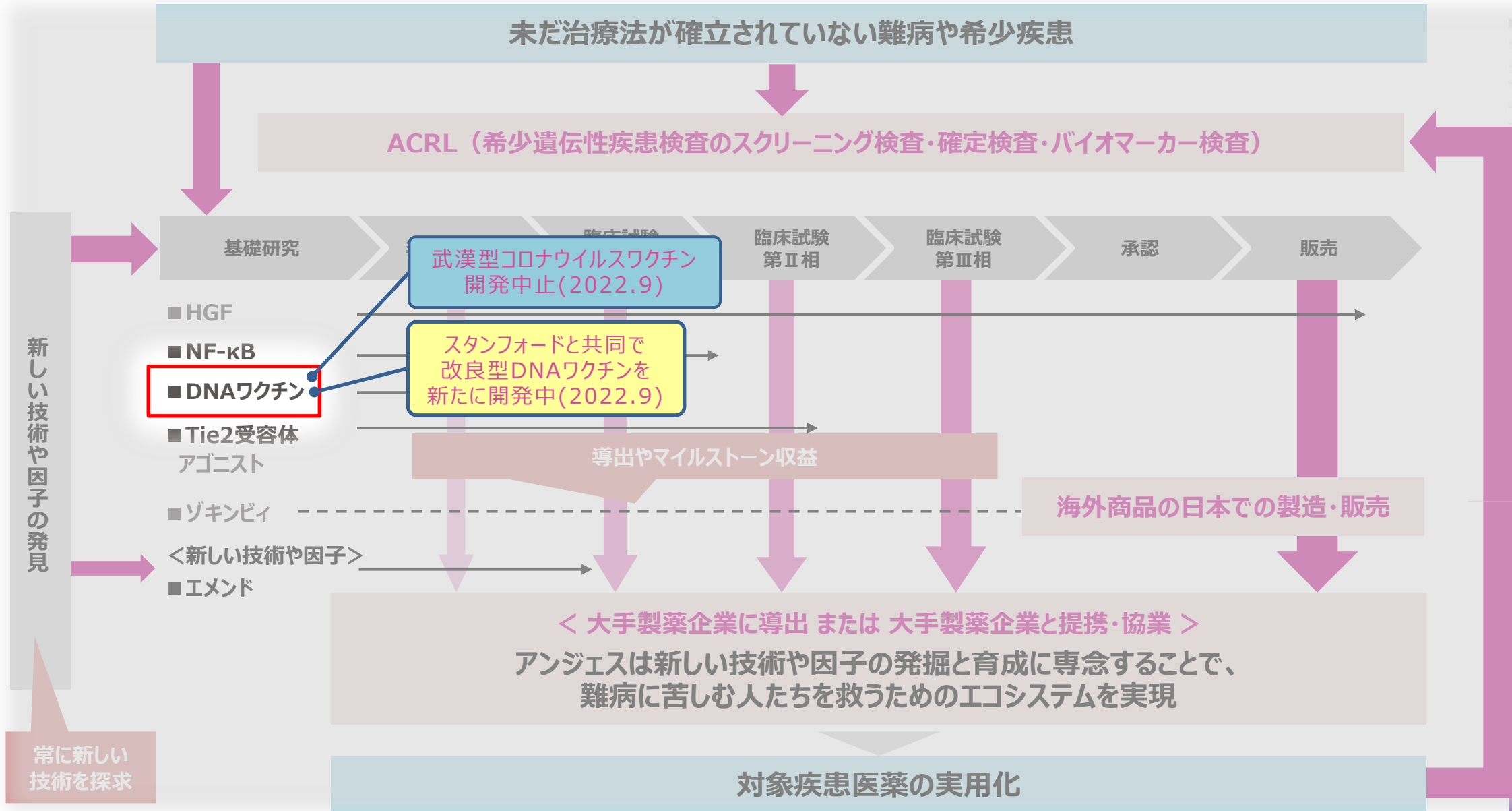
対象疾患医薬の実用化

## 事業性を見込んで、日本国内での第Ⅱ相臨床試験の実施決定 塩野義製薬と協力に関する契約締結

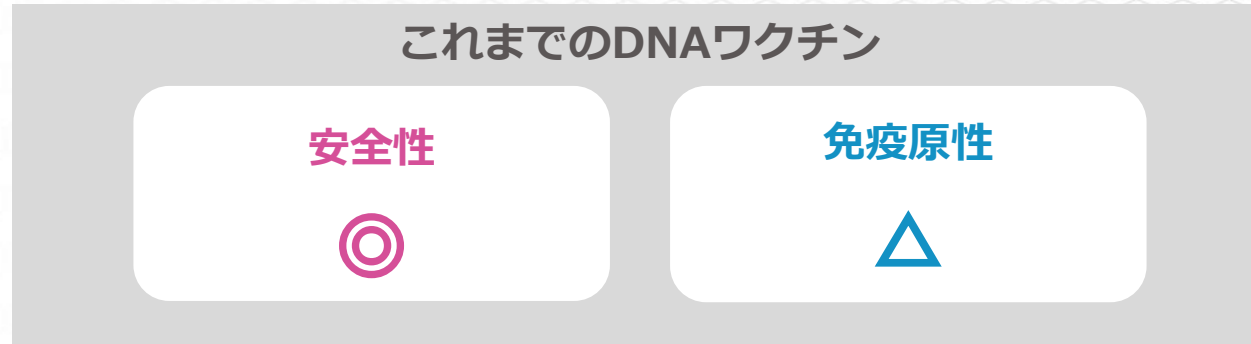


対象疾患	椎間板性腰痛症
患者数	167万人 (日本) (出典: IQVIA調査資料)
開発状況	米国で後期第Ⅰ相臨床試験の試験結果を公表 (安全性・有効性を確認) 日本国内での第Ⅱ相臨床試験を決定 (2023年1月) 塩野義製薬と国内第Ⅱ相臨床試験への協力に関する契約締結 (2023年3月)

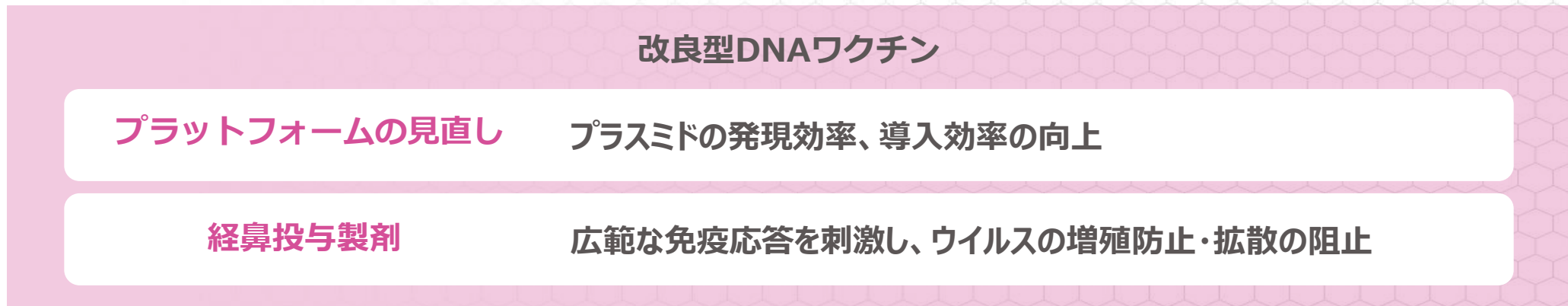
# 事業全体像から見た2022年の主な進捗



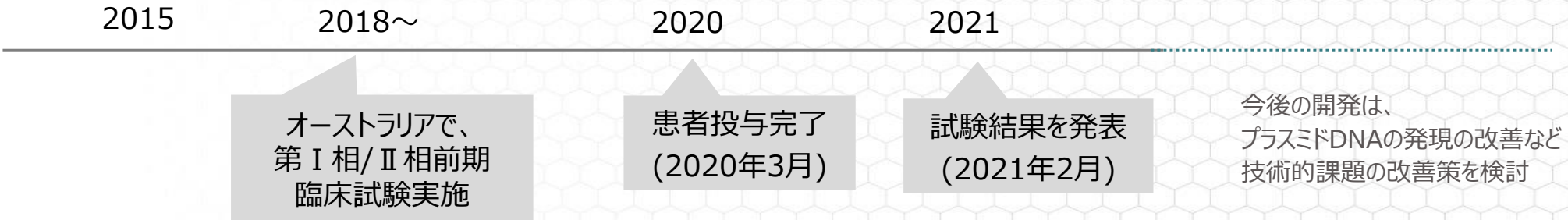
これまでのDNAワクチンは開発を中止し、改良型DNAワクチンを新たに開発



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  
(スタンフォード大学との共同研究)



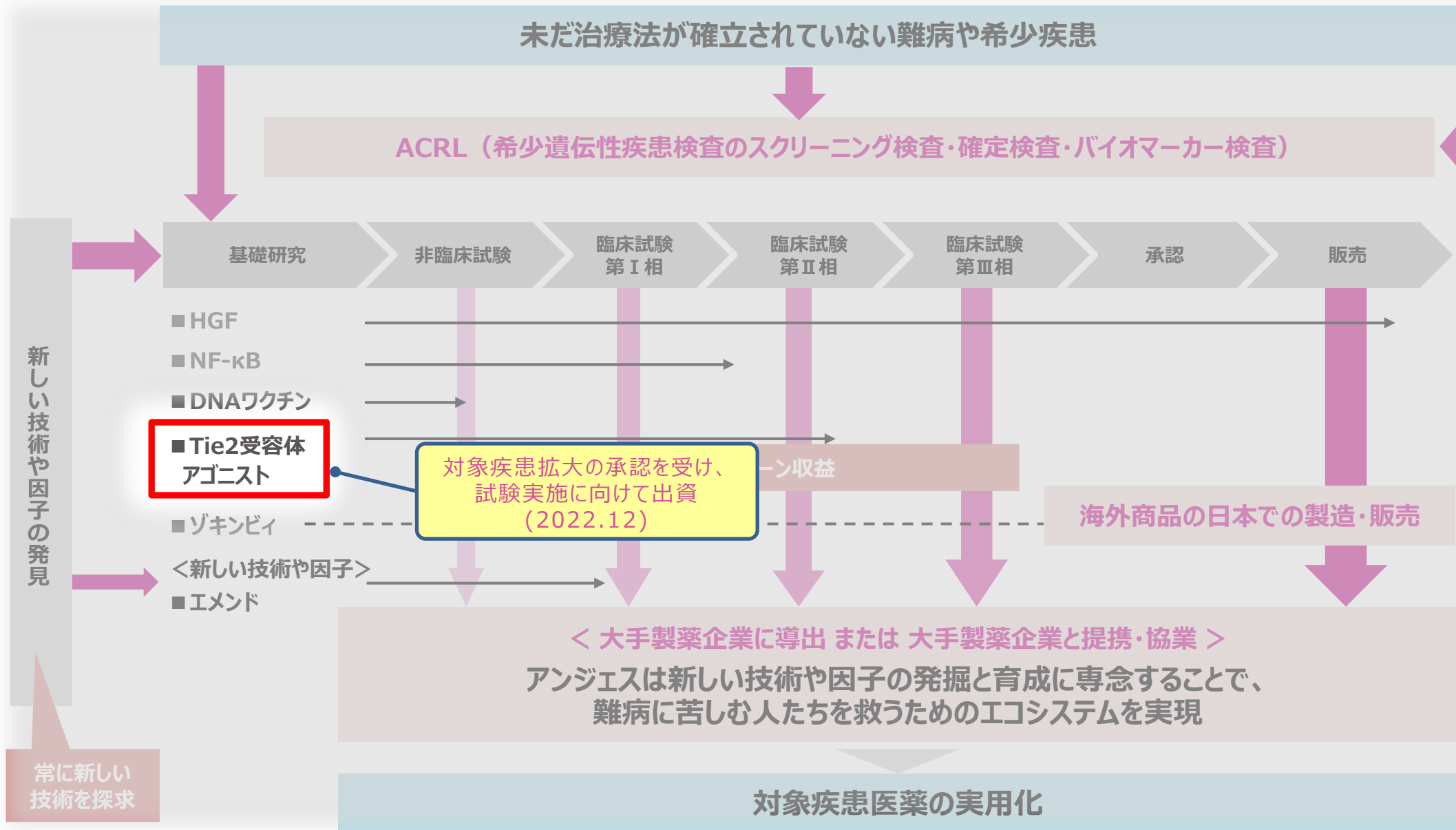
## 第 I 相/前期第 II 相臨床試験の患者投与完了 今後の開発は、技術的な課題の改善策などを検討



試験タイプ	プラセボ対照二重盲検ランダム化比較試験
対象	24例の高血圧症患者

対象疾患	高血圧
患者数	6,200万人（米国）（出典：AHA( <a href="https://www.ahajournals.org/doi/epub/10.1161/CIR.0000000000000757">https://www.ahajournals.org/doi/epub/10.1161/CIR.0000000000000757</a> )
開発状況	オーストラリアでの第 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）

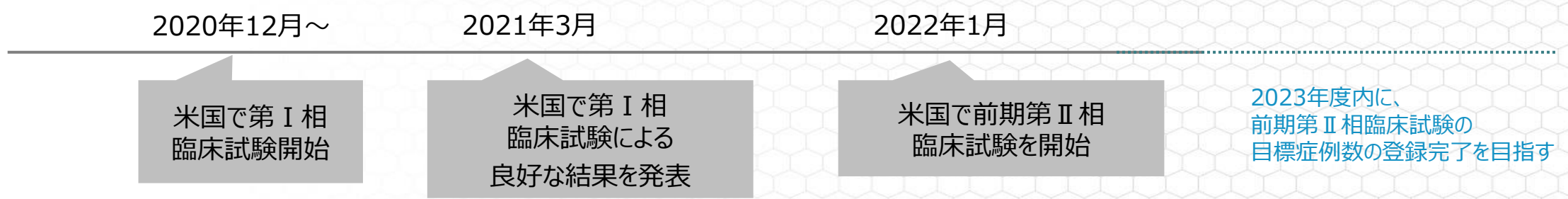
# 事業全体像から見た2022年の主な進捗





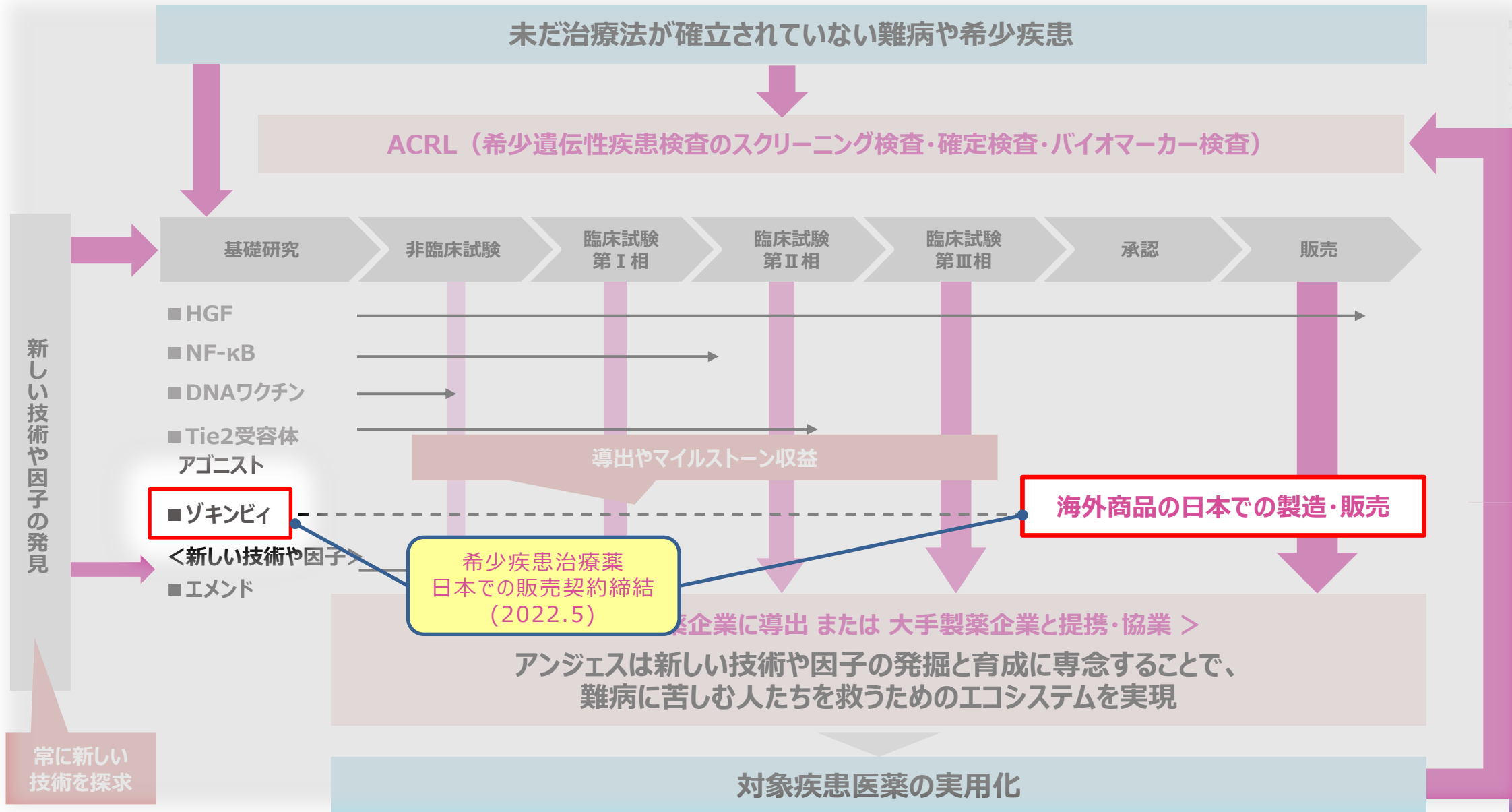
## 対象疾患をウイルス性及び細菌性肺炎を含むARDSに 広げる申請を米国FDAに行い、承認を受けた

### 対象患者の拡大に伴い、試験を実施するための費用として、Vasomune社に出資



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

# 事業全体像から見た2022年の主な進捗



## 薬事承認・薬価収載に向けて、 希少疾病医薬品の指定を受ける

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

2023年3月

希少疾病医薬品  
(オーファン・ドラッグ) の  
指定を受ける

※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）

開発状況

オーファン・ドラッグの指定を受ける（2023年3月）また今後、国内承認に向けた関係機関との打ち合わせなどを進めていく

# 希少疾患治療薬「Zokinvy」の導入

当社の事業目的として、

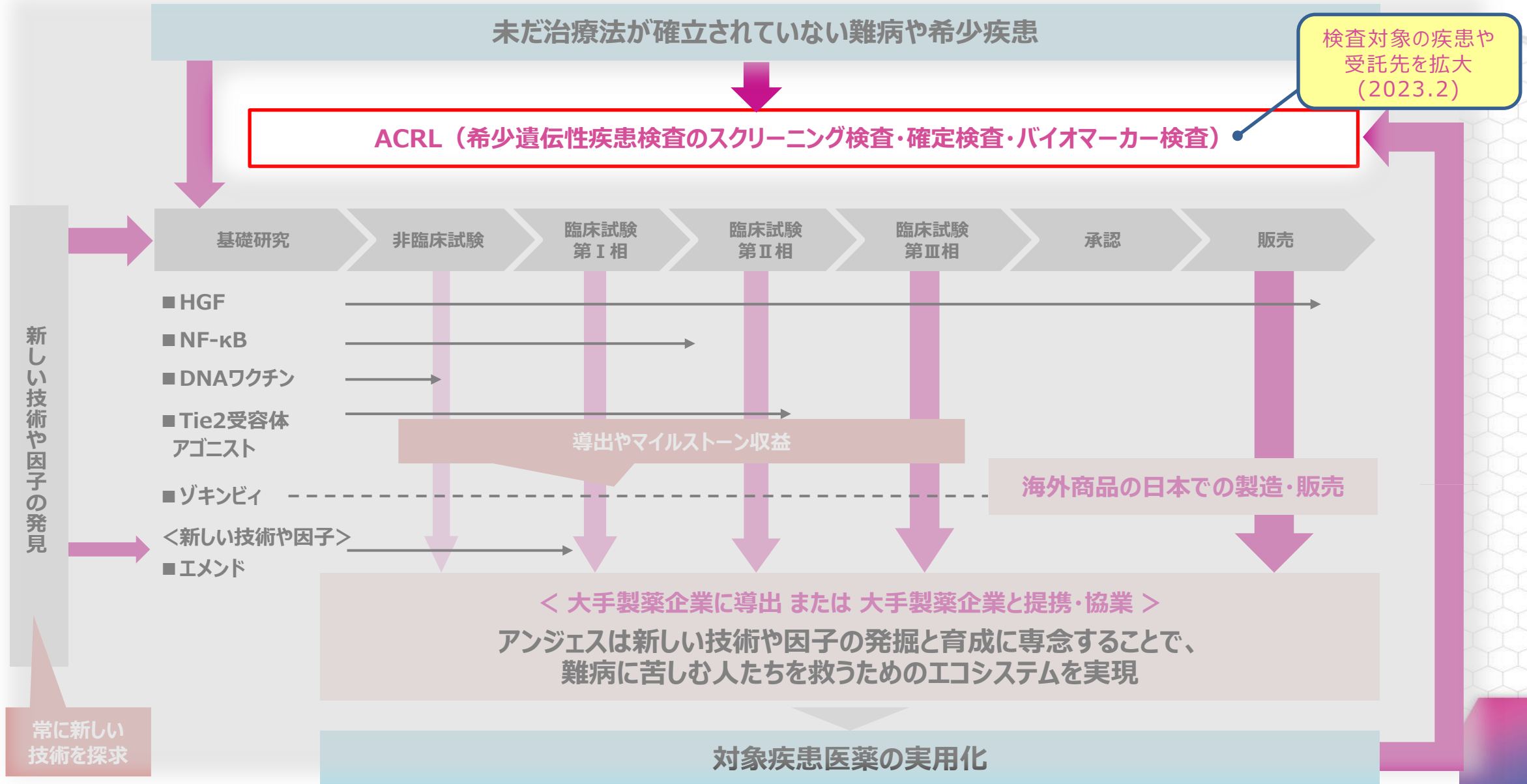
「治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などを対象にした革新的な医薬品の開発を通じて、国民生活や医療水準の向上に貢献することを目標としており、そのためにも国際的に通用する革新的な医薬品を少しでも早く患者様にお届けすることを目指して」おり、この事業目標に合致する製品であるため、導入を決めました

## 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・ラミノパチー（PL）」

※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

# 事業全体像から見た2022年の主な進捗



# 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

### 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



©三輪晃久写真研究所

検査数は増加

年間で約 1 万件！



今後は検査できる疾患をさらに拡大し、取引先を広げていく予定

### 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)



さらに、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

## スクリーニング検査

新生児に遺伝性疾患の  
可能性があるかを検査する

ACRLで年間  
約1万件実施している

今後

## 希少遺伝性疾患の 確定検査

スクリーニング検査等で  
疾患の可能性がある  
と判断された場合、  
疾患の有無を確定させる  
ための検査を実施する

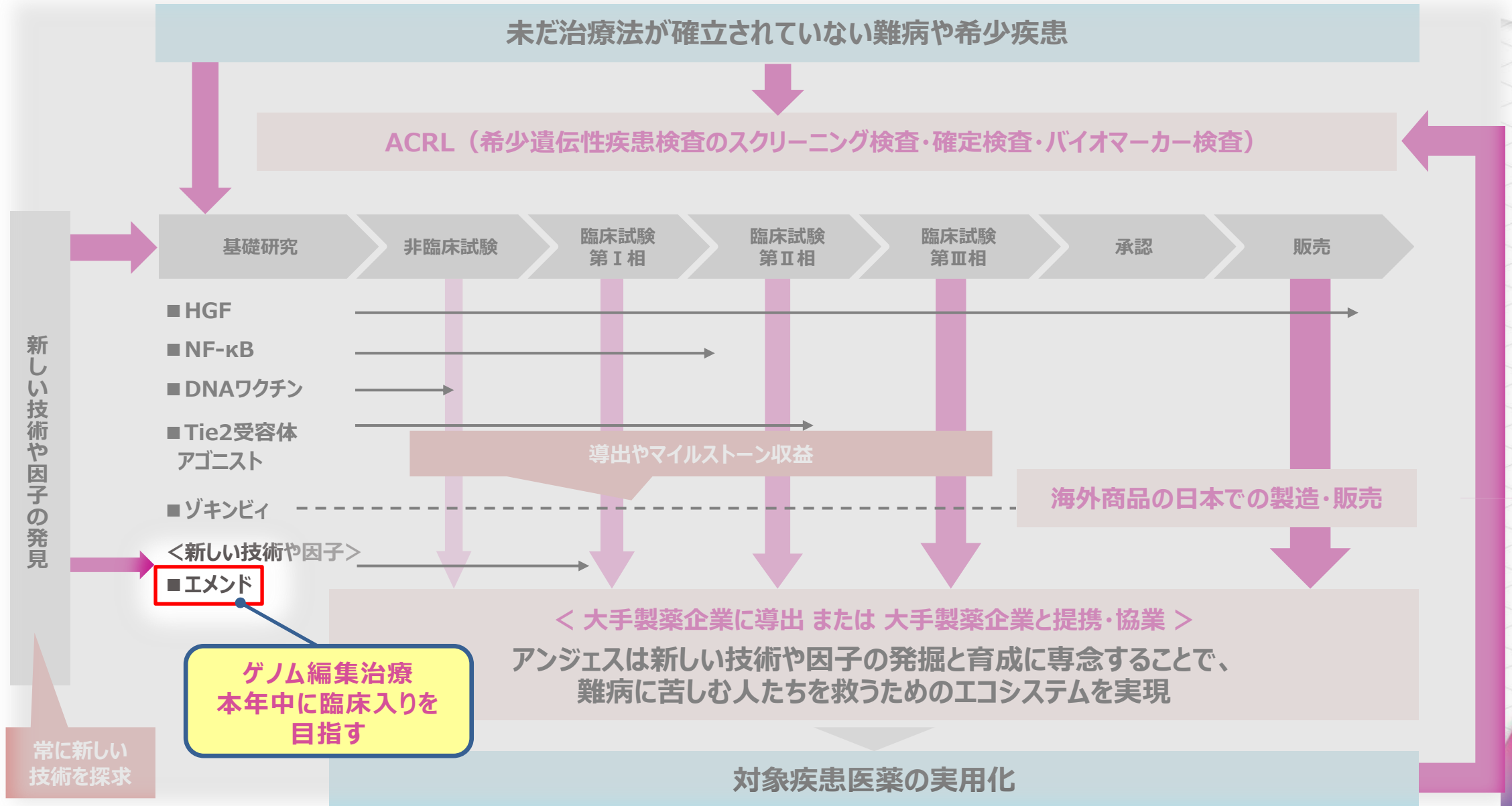
## 治療効果のモニタリング (バイオマーカーの検査)

体内の物質を調べることで、  
治療による改善状況  
等を客観的に判断する  
ためのデータを提供する

# ゲノム編集 EmendoBio社との取り組み

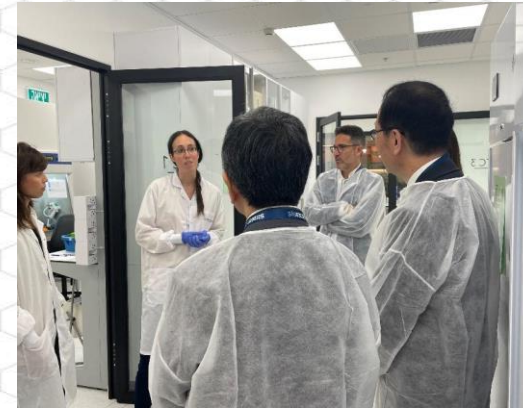


# 事業全体像から見た2022年の主な進捗



# 2022年10月 イスラエル訪問

山田社長はじめ当社社員4名は、  
子会社であるEmendoBio社のイスラエル現地スタッフとの交流や相互理解、  
体制・各プロジェクトの進捗状況などについての確認、および今後の方針に関する議論を行うため、  
イスラエルにあるEmendo社の研究所を視察してまいりました



2023年1月

## EmendoBio社のCEO・David Baram氏が来日

国立成育医療研究センターの内山徹氏には、  
EmendoBioのゲノム編集プラットフォーム技術を高く評価していただき、  
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」に招待され、  
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

# ムコ多糖症VI型治療薬「ナグラザイム<sup>®</sup>」について



知り合いの小児科医から  
“子供の高額な治療費のために、  
街頭で募金活動をしている両親がいること”  
を聞いたのがきっかけで、  
ムコ多糖症VI型患者の存在を知りました

当時、この治療薬は日本に無く、アメリカから輸入していることを聞いて、  
私（山田）は「何とかします」と即答しました

その後、すぐにアメリカへ行き交渉の結果、  
日本国内における「ナグラザイム<sup>®</sup>」の開発販売権を取得  
2年をかけて承認を取得し、  
2008年～2019年の期間、国内での販売を行っていました

※発売最終年の2019年の時点で、日本での患者数は9人  
既に3人は骨髄移植を選択しているため、6人がこの治療薬を投与していました

## オフターゲット効果の回避が必要な ELANE関連重症先天性好中球減少症の治療を目指す

Emendo社の新たなゲノム編集ツールを作出する技術（**OMNI Platform**）を活用することで、  
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**



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

# 03

## 2023年のアンジェスの指針

# アンジェス 2023年度の指針



2022年度

新しい展開を考え、  
ますます発展、進化していく端緒になる年



2023年度

これまで積み重ねてきたもの、  
これから育成していくものの価値が芽吹く年

# 「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>