

遺伝子医薬の
グローバルリーダーを目指して

AnGes Report



第 24 期 アンジェス通信

2022.1.1-2022.12.31

AnGes

アンジェス株式会社
証券コード 4563

遺伝子医薬とゲノム編集技術の開発・実用化をとおして、健康と希望にあふれた暮らしの実現を目指します。

株主の皆様には、日頃から当社グループの事業にご支援を賜り、厚く御礼申し上げます。

当社は、遺伝子の働きを利用した「遺伝子医薬」の開発、実用化を目指し、研究開発を行っております。「遺伝子医薬」の創製をとおして、治療法がない疾病分野や難病、希少疾患などで苦しんでおられる患者の方々に希望をお届けしたいと願っております。

その一環として、当社はアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー (ACRL) において新生児の希少遺伝性疾患の早期発見、治療につなげるためのスクリーニング検査事業を受託しております。2023年度は、対象疾患の拡大や受託先の開拓などに努めるとともに、希少遺伝性疾患の確定検査、また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を進めてまいります。

また、当社子会社のEmendoBio社では、ゲノム編集技術の実用化を目指し、研究開発に取り組んでおります。ゲノム編集は、遺伝子の異常が原因の疾患に対し、異常のある遺伝子を切断し、細胞自身が持つ「DNAの修復機構」という機能を利用



代表取締役社長
山田 英

するのが特徴です。このような「遺伝子の修復機構」による遺伝子の変化は、自然界でも普通に起こっています。自然界とゲノム編集との違いは、ゲノム編集では、意図した場所でこの遺伝子の変化を狙っている点が異なっているのです。このようなゲノム編集の技術が実用化できると、これまで治療が難しかった疾患の治療が可能になったり、薬による対症療法しかなかった疾患が根治できるようになる可能性が拓けてきます。

当社グループは、これからも遺伝子医薬の開発、実用化をとおして、また、ゲノム編集技術の実用化をとおして、治療薬の開発を待ち望んでおられる患者の方々をはじめ、ステークホルダーの皆様のご期待に応えるべく前進して参りたいと考えております。

最後に、株主の皆様の変わらぬご健勝をお祈りするとともに、引き続きご支援を賜りますよう、よろしくお願い申し上げます。

当社グループの研究開発状況

■ 条件及び期限付き承認制度

プロジェクト (一般名)	地域	導出先	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 (ペベルミノゲンベラプラスミド)	日本	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍	完了	完了	完了	完了	承認済	販売中	実施中		

■ 通常の認証制度

プロジェクト	地域	導出先	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 (ペベルミノゲンベラプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了	後期実施中			
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了		申請中		
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	完了	完了	完了		申請準備中		
NF-κB デコイオリゴDNA	米国/日本	—	注射剤	腰痛症	完了	完了	完了				
DNA ワクチン	オーストラリア	—	注射剤	高血圧	完了	完了	完了				
DNA ワクチン	国内外	—	経鼻投与	COVID-19 (新型コロナウイルス)	実施中						
Tie2 受容体 アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19・急性呼吸窮迫症候群	完了	完了	完了	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)*	完了	完了	完了	完了	導入品	申請準備中	

※開発パイプラインとしては、上述のプロジェクト以外に、探索・基礎研究・非臨床試験段階で慢性 B 型肝炎治療薬があります。

* [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・ラミノパチー

■ EmendoBio 社の開発

プロジェクト	地域	適応症	LEAD OPTIMIZATION	PRE-CLINICAL	IND-ENABLING	PHASE 1-3
ゲノム編集治療の開発	米国	ELANE 関連重症先天性好中球減少症	完了			
		血液学・眼科・免疫腫瘍学などにおける疾患	完了			

Q1 そもそも、ゲノムとは何ですか？

A

ゲノムとは、その生物がもつ遺伝情報全てのことです。これはDNAという物質で構成されています。DNAは、「A、T、G、C」の4つの文字（この文字は「塩基」と呼ばれる物質です）が、いろいろな並び順で連なった構造をしており、ヒトの場合、ゲノムDNAは、約30億の塩基の文字列で構成されています。

ゲノムDNAの中には、「遺伝子」と呼ばれる、体で使われるタンパク質の設計図が含まれています。遺伝子は、長いものも、短いものも、いろいろありますが、ヒトでは、約30億の文字列の中に、約2万の遺伝子が存在しています。

Q2 では、ゲノム編集はどのようなことをするのですか？

A

ゲノム編集とは、DNAを切る技術を使って、遺伝子の狙った部分の文字列を、目的の文字列に書き換える技術です。

Q3 ゲノム編集というとノーベル賞を受賞したクリスパーキャスナイン(CRISPR-Cas9)というのを聞いたことがあります。これは何がすごいのでしょうか？

A

CRISPR-Cas9は、もともとは微生物が持っている免疫システムでした。これをもとに、動物や植物など、いろいろな細胞に利用できるように改変され、ゲノム編集技術として確立されました。CRISPR-Cas9は、よくDNAを切る「ハサミ」に例えられますが、DNAを切る「ハサミ」の役割を持つ酵素（これをヌクレアーゼと言います）は実はたくさんあります。CRISPR-Cas9のすごいところは、長いDNAの中で狙った1か所「だけ」を切ることができる「ハサミ」だということです。

Q4 そんなすごい技術なのに、なぜ実用化されていないのですか？

A

CRISPR-Cas9は、長いDNAの中で狙い撃ちした1か所「だけ」を切ることができる「ハサミ」と言いましたが、実際にはDNAの中には、配列がとても似ていて、1か所の塩基だけが違うこともあり、そのような間違っただけの場所のDNAを切ってしまうこと（これを「オフターゲット効果」と言います）が稀に起こってしまいます。そのように、間違っただけの場所を切ってしまうと、それが原因で別の病気を引き起こす可能性があり、この「オフターゲット効果」を如何になくせるかが、実用化のカギとなっています。

また、CRISPR-Cas9は様々な特許が取得されているため、日本で医療に応用する場合には、とてもお金がかかってしまう点も実用化を難しくしています。

Q5 EmendoBio社の特徴は何ですか？

A

EmendoBio社は、CRISPR-Cas9と異なる「ハサミ」をたくさん見つけていて、これらの独自のハサミ（これをOMNIヌクレアーゼと言います）は、CRISPR-Cas9よりも「オフターゲット効果」が少ないものもたくさんあります。EmendoBio社はこのOMNIヌクレアーゼを独自の技術で、さらに精度を上げる研究も行っていきます。EmendoBio社では、2023年中の米国での臨床試験実現に向けてこの技術の研究開発を進めています。

会社概要 (2023年3月31日現在)

会社名 アンジェス株式会社 (英文名: AnGes, Inc.)
会社設立 1999年12月
決算期 12月31日
資本金 35,146百万円
従業員数 138名 (連結)
事業内容 遺伝子医薬品の研究開発
URL <https://www.anges.co.jp/>

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
(東京支社)
〒108-0014
東京都港区芝四丁目13番3号 PMO田町Ⅱ 9階

株主メモ

事業年度 1月1日～12月31日
株主確定基準日 期末 12月31日
中間 6月30日
定時株主総会 毎年3月
株主名簿管理人 三菱UFJ信託銀行株式会社
特別口座の口座管理機関
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

単元株式数 100株
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)
上場証券取引所 東京証券取引所

(ご注意)

- 株主様の住所変更、単元未満株式の買取請求、その他各種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。
- 特別口座に記録された株式に関する各種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おいてもお取次ぎいたします。

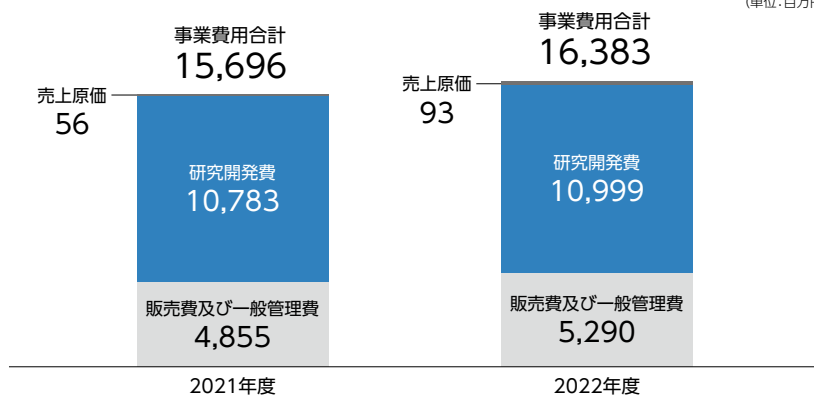
連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2021年度	2022年度
事業収益	64	67
営業損失	15,632	16,316
経常損失	13,588	14,610
当期純損失	13,675	14,714
現金及び現金同等物の期末残高	17,835	10,969

	2021年 12月末	2022年 12月末
総資産	45,455	38,820
純資産	38,634	30,425

(単位:百万円)



- 事業収益につきましては、ACRLにおける検査受託数の増加により微増となりましたが、Emendo社の研究開発費の増加等による研究開発費の増加により、営業損失、経常損失、当期純損失につきましては、それぞれ損失が拡大いたしました。
- 総資産、純資産につきましては、純損失の計上などにより減少いたしました。

*財務情報の詳細は、当社ホームページをご参照ください。☎<https://www.anges.co.jp/>/ir

広報・IR へのお問い合わせに関するご案内

当社へのお問い合わせは、当社ホームページのお問い合わせフォームからお願いします。ホームページに「よくあるご質問」を設けておりますので、そちらもご覧いただけますようお願いいたします。いただいたお問い合わせには、内容を精査した上で、当社ホームページ上でご回答させていただきます。何卒、ご理解いただけますようお願い申し上げます。

よくあるご質問 <https://www.anges.co.jp/faq/>
お問い合わせフォーム <https://www.anges.co.jp/contact/>

ニュースリリース 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情報などをメールでお知らせするサービスです。こちらのQRコードよりお申し込みいただけます。(登録料無料)
当社ホームページ「IR情報」ページからもご登録いただけます。



▲詳しくはこちらから

Information

2023年3月30日開催の株主総会終了後に
会社説明会を開催いたします。

