



# AnGes

アンジェス株式会社  
2023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～



2024年2月

- ◆ 本資料には当社の現在の見通し、予想、目標、計画等を含む将来に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとに当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来予想に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績その他の結果は、将来予想に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。従って、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更又は訂正する一切の義務を当社は負いません。
- ◆ 上記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。

## 1 2023年12月期 決算概要

## 2 2023年12月期 主要トピックス

- ① ゾキンヴィ 国内製造販売承認
- ② HGH遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請
- ③ NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNA
- ④ Tie2受容体アゴニスト
- ⑤ ACRLの検査業務

## 3 その他開発品、提携企業との協業



# 01

## 2023年12月期 決算概要

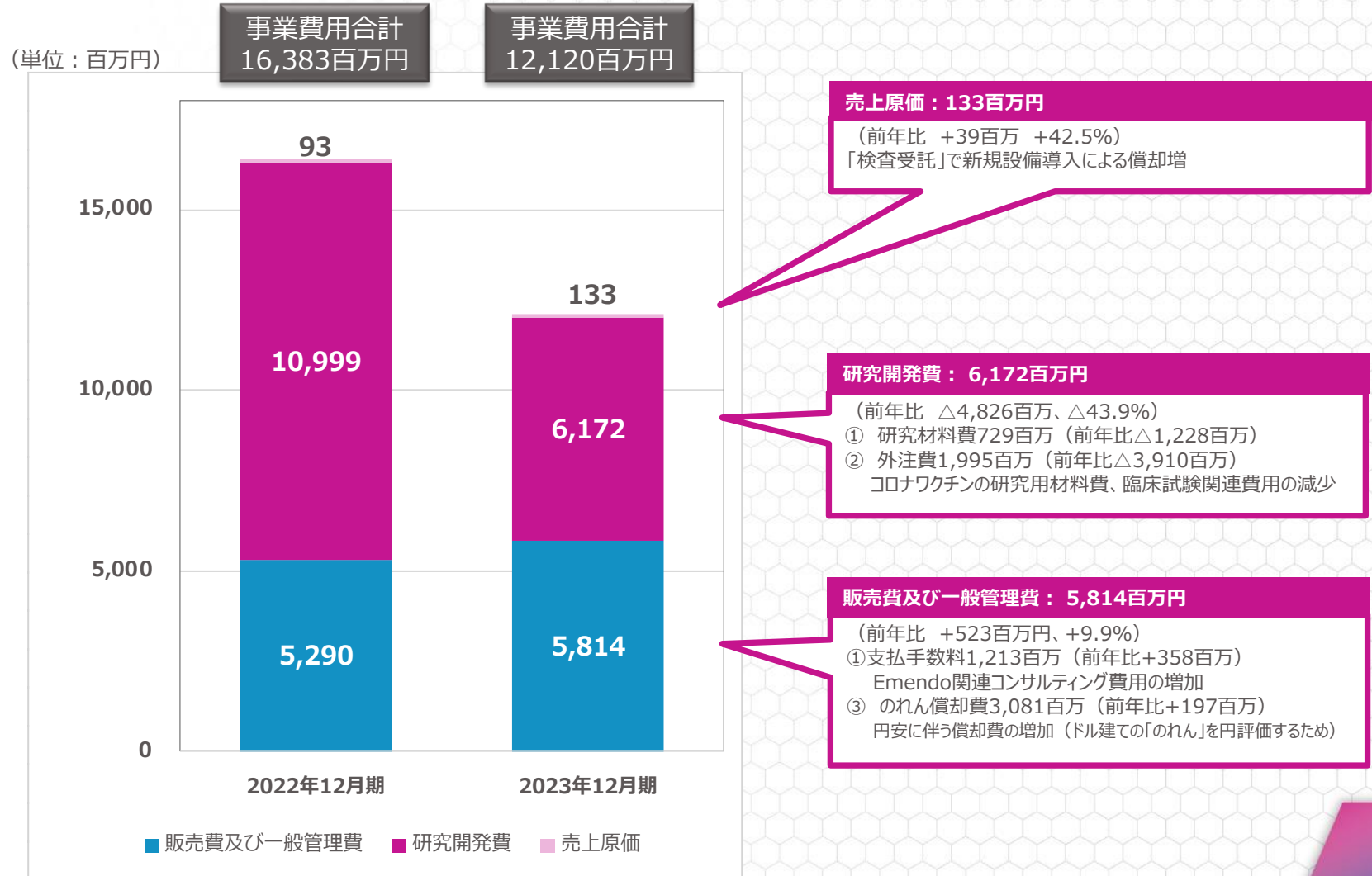
## 2023年12月期業績 前年度比及び計画比

(単位：百万円)

	2022年12月	2023年12月	増減	2023年12月 計画	2023年12月 実績	計画比
事業収益	67	152	85	190	152	-37
事業費用	16,383	12,120	-4,263		12,120	
営業損益	-16,316	-11,967	4,349	-13,500	-11,967	1,532
営業外収支	1,706	6,316	4,609		6,316	
経常損益	-14,610	-5,651	8,958	-7,500	-5,651	1,848
特別損益	-106	-1,820	-1,713		-1,820	
当期純損益	-14,714	-7,437	7,277	-7,500	-7,437	62

- ・ 2023年度の業績における事業収益は、コラテジエンの売上げは概ね予定どおり、拡大新生児スクリーニング検査は前年度比増加したものの、予定には届かず
- ・ 費用面では新型コロナワクチンの研究開発中止などにより研究開発費を圧縮
- ・ 有価証券評価損、Emendo 社の事業再編成に伴う費用を特別損失として計上

# 事業費用の内容



# 連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2022年12月末	2023年12月末	増減
流動資産	12,896	5,921	-6,975
うち現金及び預金	11,035	4,160	-6,874
固定資産	25,924	22,971	-2,952
うち「のれん」	23,254	21,746	-1,508
総資産	38,820	28,892	-9,928
負債	8,395	2,789	-5,605
純資産	30,425	26,103	-4,322

## 流動資産

- 現預金 4,160百万 (前年度末比△6,874百万円)  
資金調達2,055百万はあるも、事業支出により減少
- 原材料及び貯蔵品1,468百万(前年比+463百万)  
コラテジェン原薬製造に伴い増加

## 固定資産

- のれん残高 21,746百万 (前年比△1,508百万)
- Emendo社社屋の使用権資産 267百万 (前年比△1,050百万) 事業構造改善のための計上基準見直し

## 負債

- 前受金 637百万 (前年比△5,126百万)  
助成金の未計上分を補助金収入として計上
- リース債務 362百万 (前年比△793)

## 純資産

- 資金調達に伴い資本金/資本剰余金+1,032百万
- 当期損失による利益剰余金 △7,437百万
- 欠損の填補に充当 資本金 △1,125百万  
資本準備金 △15,076百万  
繰越利益剰余金 +16,202百万



## 2024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
2024年度 通期 計画	530	-8,500	-8,500	-8,700
2023年度 通期 実績	152	-11,967	-5,651	-7,437
増減	378	3,467	-2,849	-1,263

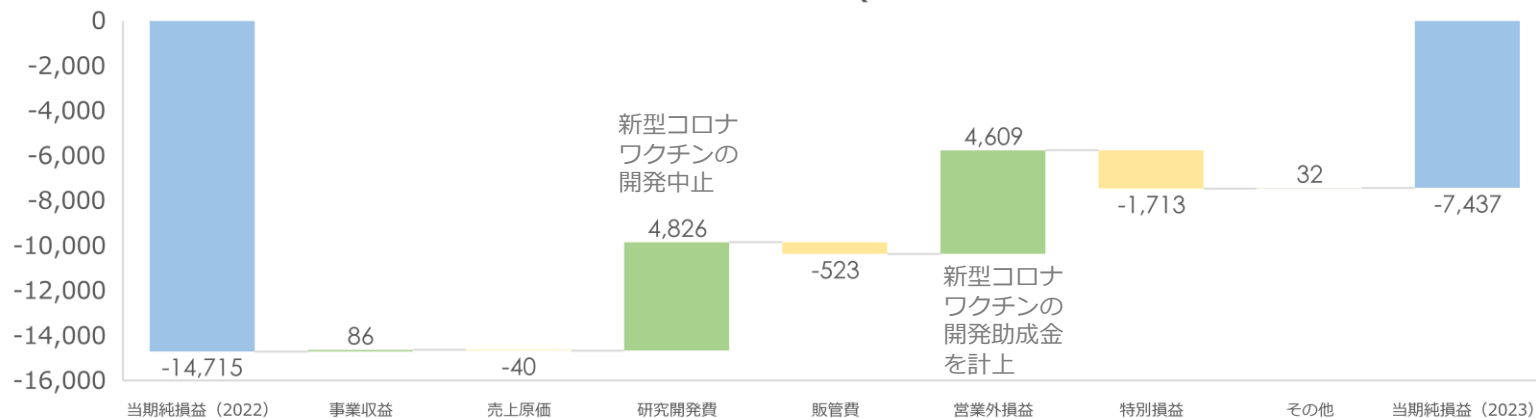
## 2024年度 通期業績見通しのポイント

- ・ ゾキンヴィの製造販売承認に伴う販売開始
- ・ ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数増加
- ・ Emendo社の事業再構築に伴う研究開発費の削減
- ・ 2023年度に計上した補助金収入が無くなる

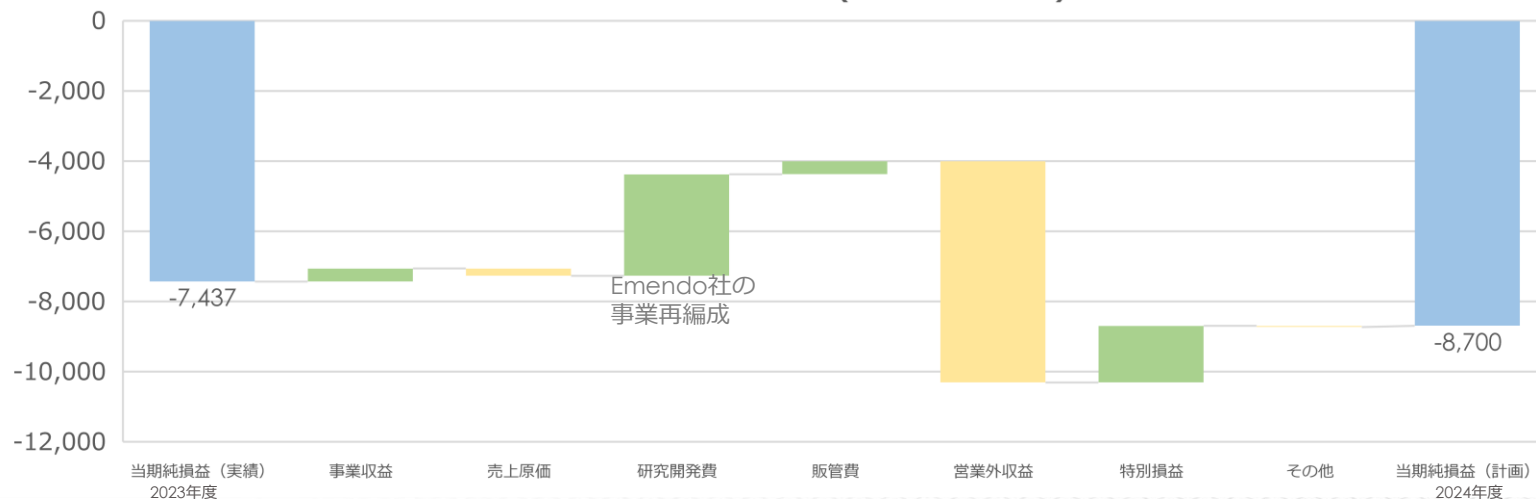


# 当期純損益の増減要因

## 2023年度実績増減要因(2022年度比)



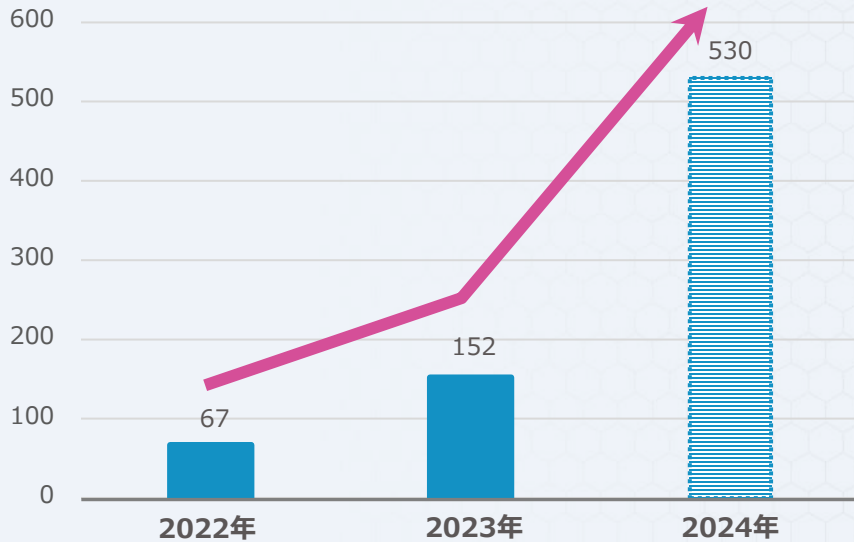
## 2024年度計画増減要因(2023年度実績比)



## 事業収益

※2024年は見通し

単位：百万



- ・ 2023年は前期比2倍以上の事業収益を達成
- ・ 2024年はゾキンヴィの製造販売承認に伴う販売開始やACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数増加

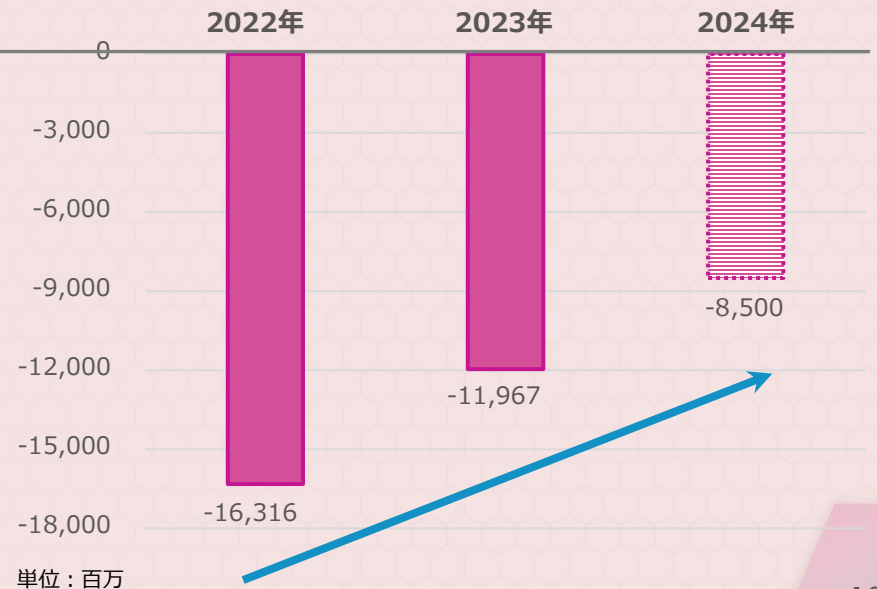
事業収益は増加

## 営業損益

※2024年は見通し

- ・ 新型コロナワクチンの研究開発中止などにより研究開発費を圧縮
- ・ Emendo社の事業再編成に伴う研究開発費の削減

## 営業損益の数値は改善



単位：百万

# 02

## 2023年12月期 主要トピックス

# 当社グループ開発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	→	→	→	→	→	承認済	販売中	実施中	申請中

## ■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	→	→	→	→	後期実施中		
	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-κBデコイオリゴDNA	米国/日本	—	注射剤	腰痛症	→	→	→		実施中		
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)	→						
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		
ゾキンヴィ (ロナバルニブ)	日本	Eiger (導入元)	カプセル剤	早老症 HGPS・PL*	→					承認済	

\*「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・ラミナチー

## ■ Emendo社

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	→			
		家族性高コレステロール血症・ 血液学・眼科・免疫腫瘍学などの疾患	→			



1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Tie2受容体アゴニストの米国での第II相臨床試験

5

ACRLでの検査業務

1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Tie2受容体アゴニストの米国での第II相臨床試験

5

ACRLでの検査業務

## 当社の事業目的

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います

米国で販売中のゾキンヴィを日本へ導入

## ゾキンヴィとは

米国のEiger BioPharmaceuticals Inc.が販売する  
ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(HGPS)及び  
プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー(PL)の治療薬

HGPSの死亡リスク低減、プロセシング不全性PLの治療薬として  
2020年11月に初めて米国FDAより承認され、  
その後欧州連合、英国でも承認される  
アンジェスは、2022年5月に、日本国内における  
独占的販売契約をEiger社と締結  
2023年3月には、厚生労働省により希少疾病医薬品  
(オーファン・ドラッグ※) に指定される

※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  
オーファン・ドラッグに指定を取得すると、優先審査のほか、  
承認を取得した場合には、10年間の優先販売期間が認められるなどの  
メリットや支援措置を受けることができる

## ゾキンヴィの対象疾患／有効性・安全性

### 対象疾患

乳児早老症といわれる、「HGPS」と「プロセシング不全性PL」  
使用患者数は、数名程度から開始することになる想定

※早老症とは  
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”と呼ばれる  
HGPSの平均年齢は、14.5歳と報告されています

### 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72%減少させ、**  
**平均生存期間を4年程度延長させるというデータがあります**

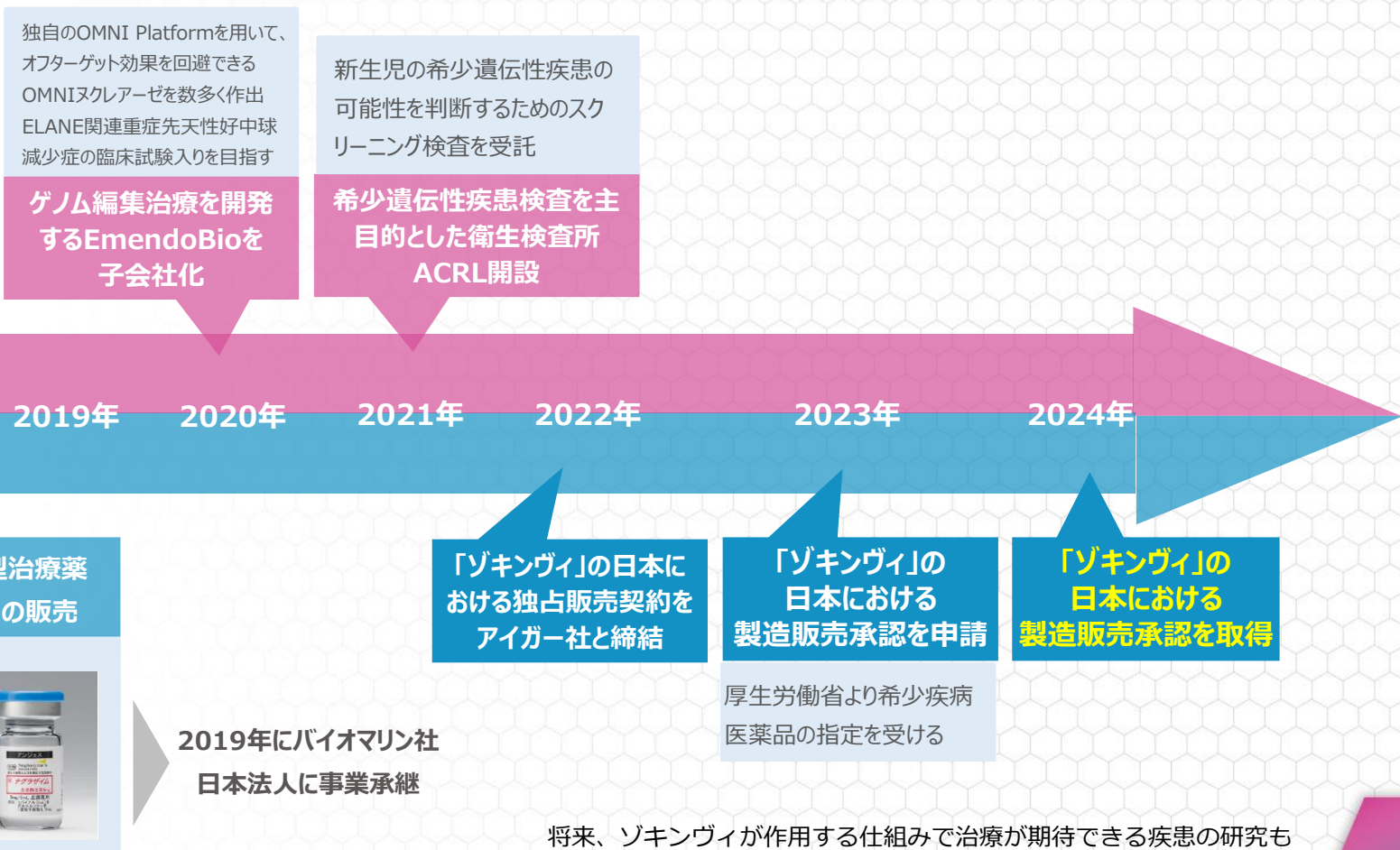
#### ◆安全性

多くのHGPS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又は中等度



# 希少疾患への取り組みとゾキンヴィ

## 2024年1月18日に早老症治療薬「ゾキンヴィ」の日本国内での製造販売承認を取得



将来、ゾキンヴィが作用する仕組みで治療が期待できる疾患の研究も

1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第Ⅱ相臨床試験

4

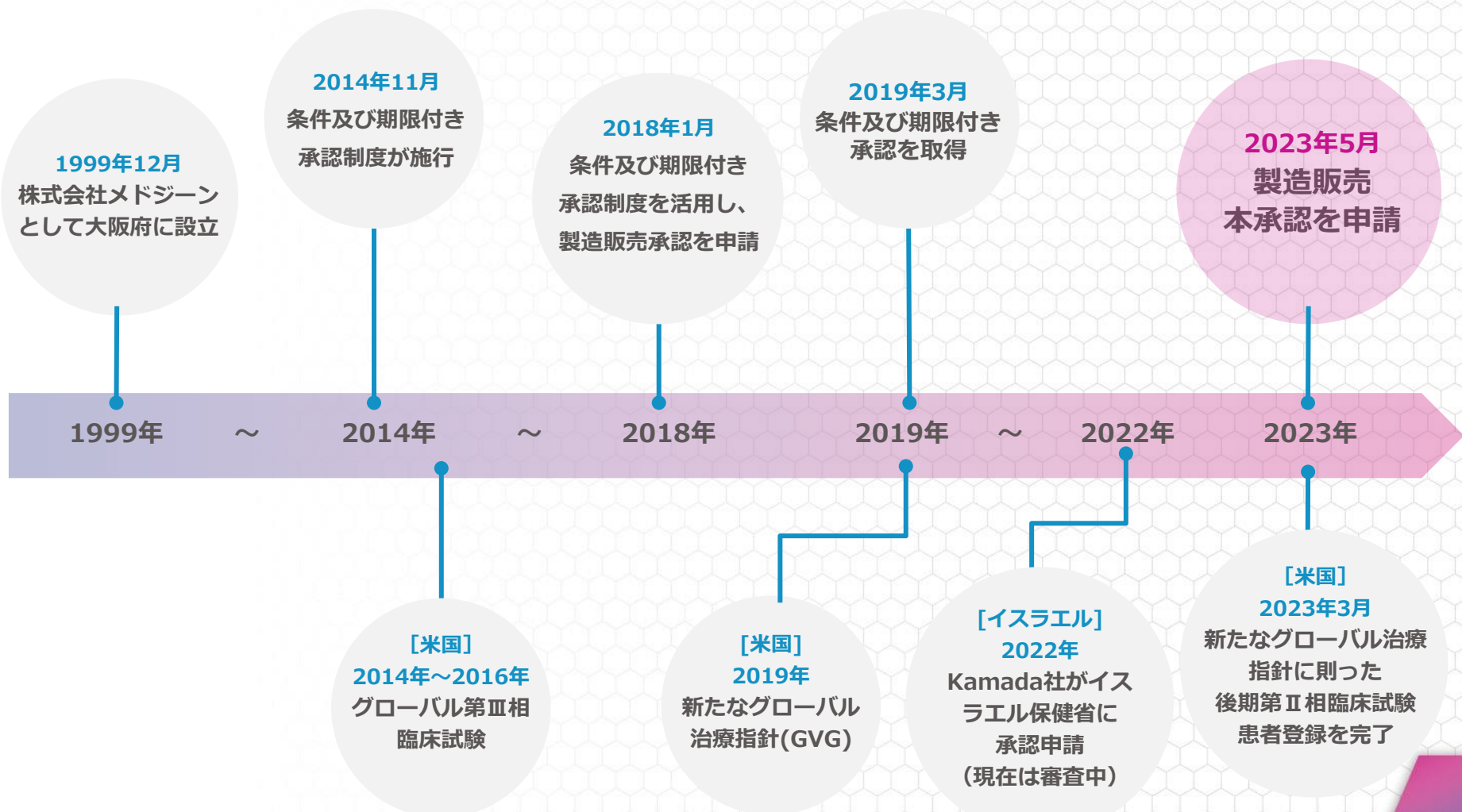
Tie2受容体アゴニストの米国での第Ⅱ相臨床試験

5

ACRLでの検査業務

# HGF遺伝子治療用製品「コラテジェン」開発の歩み

2023年5月に「コラテジェン」の製造販売承認を申請  
 現在は、承認に向けた審査対応を実施中



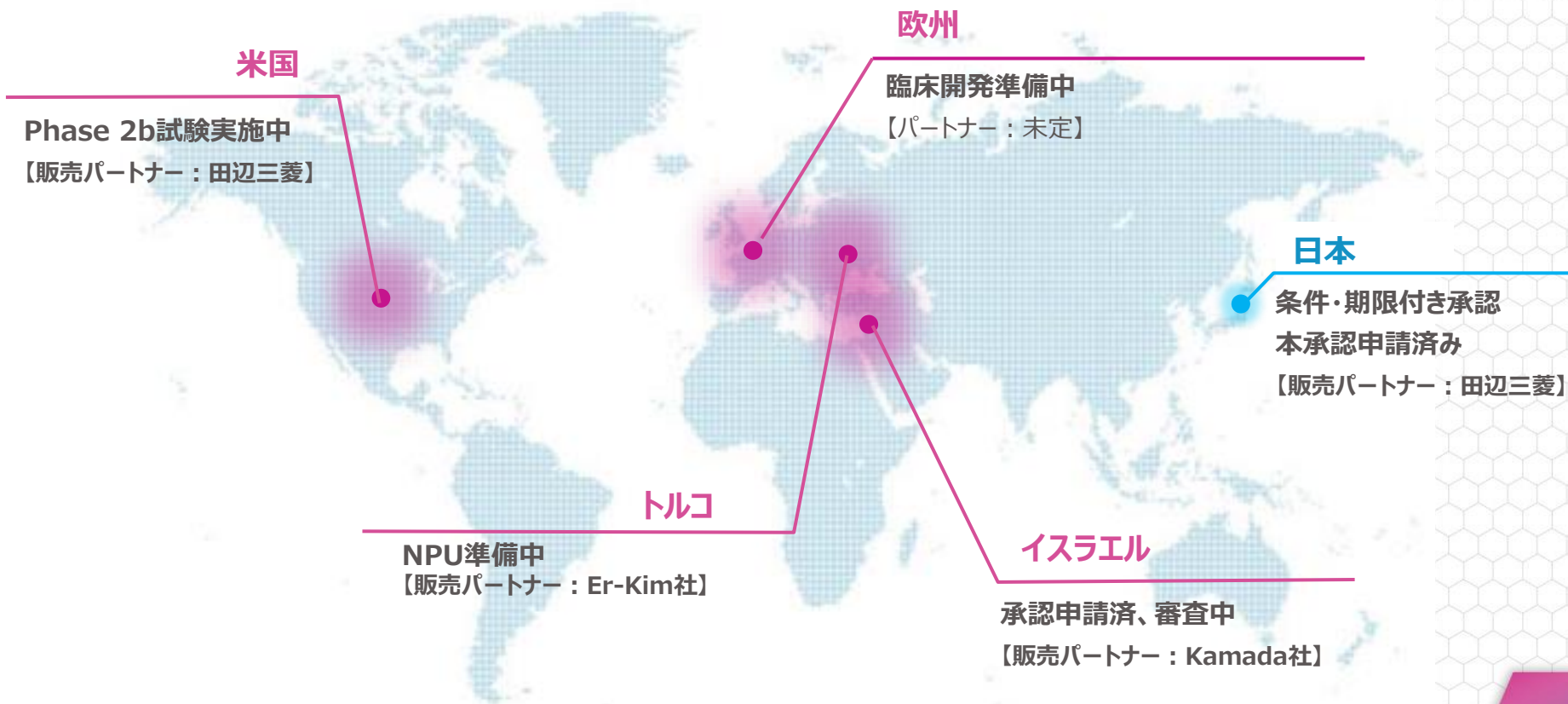
# HGF遺伝子治療用製品のグローバル展開

米国

2024年第2四半期に後期第Ⅱ相臨床試験のデータ公開見込み

欧州

パートナー企業の検討





1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Tie2受容体アゴニストの米国での第II相臨床試験

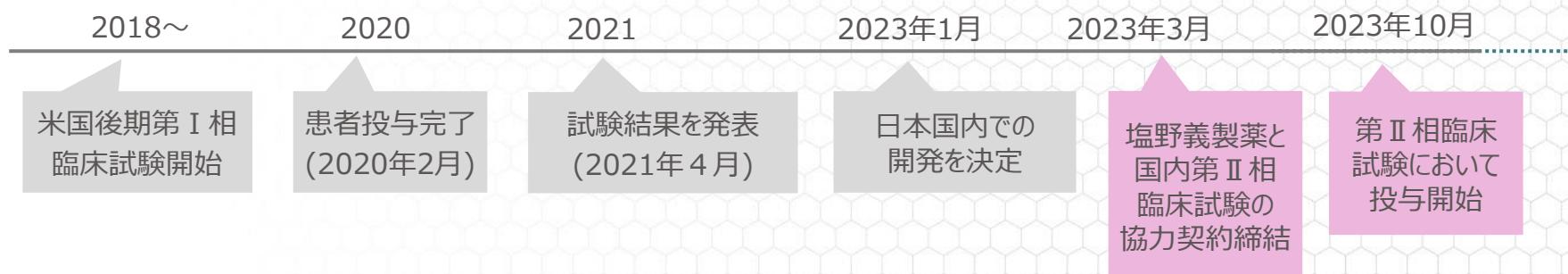
5

ACRLでの検査業務

## NF-κBデコイオリゴDNA

## 日本国内で第Ⅱ相臨床試験の投与開始

2023年10月に投与した2症例について、  
独立データ安全性モニタリング委員会において**安全性が確認されました**



予定どおり第Ⅱ相臨床試験の症例登録を推進

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	<p>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） 国内における第Ⅱ相臨床試験で投与開始（2023年10月）</p>

1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第Ⅱ相臨床試験

4

Tie2受容体アゴニストの米国での第Ⅱ相臨床試験

5

ACRLでの検査業務

# Tie 2 受容体アゴニスト

## 米国において第Ⅱ相臨床試験を実施中

新型コロナウイルス、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）を対象に第二相臨床試験を実施中

米国で実施中の第Ⅱ相臨床試験において、独立データ安全性モニタリング委員会（Independent Data and Safety Monitoring Board、略称：IDSMB）から**安全性について肯定的評価**を受けました

米国における臨床試験においては、臨床試験実施主体から独立した第三者機関であるIDSMBが臨床試験の安全な実施をモニタリングする仕組みがあり、IDSMBは臨床試験の実施過程において、必要に応じて安全性に関する評価を実施します

第Ⅱ相臨床試験の目標症例登録に向け臨床試験を実施する医療機関を追加  
当社の臨床試験に関する知見に基づく医療機関との連携を強化  
臨床開発を加速

2024年度内の登録完了を目指す

Tie2 受容体アゴニスト「AV-001」は  
カナダのバイオ医薬品企業 Vasomune Therapeutics, Inc.と共同開発しています



1

早老症治療薬「ゾキンヴィ」国内での製造販売承認を取得

2

HGF遺伝子治療用製品 条件解除に向けて本承認申請

3

NF- $\kappa$ BデコイオリゴDNAの国内での第II相臨床試験

4

Tie2受容体アゴニストの米国での第II相臨床試験

5

ACRLでの検査業務

# アンジェスクリニカルリサーチラボラトリーとは (ACRL)

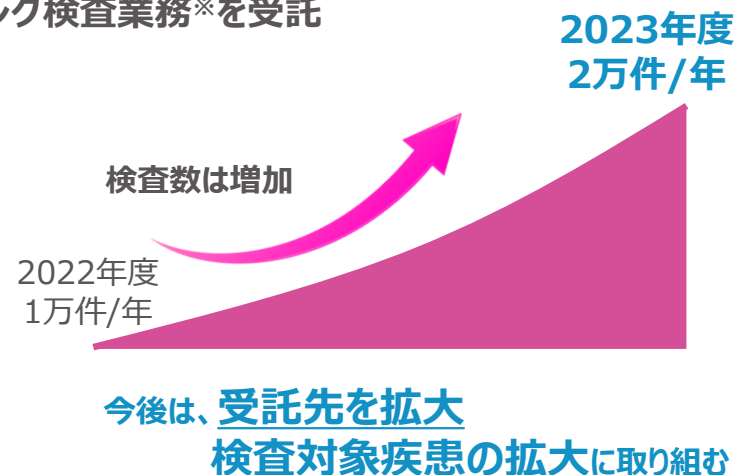
## 希少遺伝性疾患検査を主目的とした衛生検査所

### アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー

拡大新生児スクリーニング検査業務※を受託



©三輪晃久写真研究所



※「一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会 (CReARID)」が提供するオプションスクリーニング検査

### 新生児を対象とした検査

#### 新生児マス・スクリーニング (公的マス)

- ・日本出生の全新生児に公費負担で実施
- ・先天性代謝異常症 (フェニルケトン尿症など) や内分泌疾患 (先天性甲状腺機能低下症など)

#### 拡大新生児スクリーニング

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

# 拡大新生児スクリーニング検査の動向

SCID（重症複合免疫不全症）とSMA（脊髄性筋萎縮症）は近年治療薬の開発が進み  
早期発見・早期治療によって症状の重篤化を防ぐことが期待されています  
スクリーニング検査への各自治体の対応についてメディアでも度々取り上げられています

佐賀県では、2023年度から  
新生児マス・スクリーニング検査の対象に  
SMAとSCIDを追加し、費用を全額公費で負担

新生児検査に2難病追加へ 佐賀県、2023年度から費用全額公費で負担

2023/02/23 07:45

中島野愛 大橋諒

佐賀県は2023年度から、新生児の先天性代謝異常などの病気をみつけるための検査「新生児マススクリーニング検査」の対象に「脊髄性筋萎縮症（SMA）」と「重症複合免疫不全症（SCID）」を加え、費用を全額公費で負担する。二つの難病は、検査手法の確立や治療薬の承認などにより早期に発見すれば、治療が可能になっており、生まれたばかりの命を病から救うことにつながる。2疾患の検査費全額公費負担は栃木県と並び、全国初の試みとなる見込み。



画像を拡大する

県はSMAとSCIDの検査費や検査を周知するための広報費として、開会中の県議会に上程した23年度一般会計当初予算案に3153万円を盛り込んだ。

県こども家庭課などによると、SMAは遺伝子の一部が欠け、筋肉の萎縮や呼吸困難などの症状が出る進行性の病気で、約2万人に1人が発症する。SCIDは遺伝子異常で免疫機能が働きにくく、生まれつき病気がかりやすくなる難病で、約5万人に1人の患者がいるとされる。国は20年10月から、ロタウイルスワクチンを定期予防接種の対象としているが、SCIDの子どもが接種を受けると重い副反応の懸念がある。

2023.2.23 佐賀新聞より

<https://www.saga-s.co.jp/articles/-/994468>

こども家庭庁は、「新生児マススクリーニング検査」に  
新たに、SMAとSCIDの二つの難病を公費で  
実施する方針を固めた

新生児スクリーニング検査、二つの難病追加へ 自治体間の差に課題も

有料記事  
後藤一也 2023年11月21日 18時30分



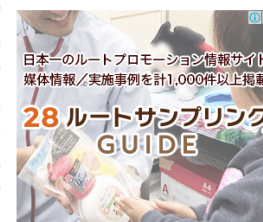
f X B! ...  
list 0



こども家庭庁内にあるイベントスペースの入り口  
=2023年4月、東京都千代田区、藤崎麻里撮影

赤ちゃんに先天性のまれな病気がないかを調べる「新生児マススクリーニング検査」で、こども家庭庁は、新たに二つの難病について公費で実施する方針を決めた。自治体によって実施状況に差がある現状を改善するねらいがある。準備の整った自治体からスタートさせ、将来的には全国一律で検査できる体制をめざす。

新たに対象となるのは、「脊髄（せきずい）性筋萎縮症（SMA）」と、「重症複合免疫不全症（SCID）」で、いずれも患者数は10万人あたり1〜2人程度とされる。



日本のルートプロモーション情報サイト  
媒体情報／実施事例を計1,000件以上掲載



[PR]

自治体もあり、格差が指摘されていた。

2023.11.20朝日新聞オンラインより

<https://www.asahi.com/articles/ASRCP4W3KRCNUTFL021.html>

# ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の特徴

## 9疾患のスクリーニング検査を柔軟に対応

国内では**最多の検査項目数**となる**9疾患**のスクリーニング検査が実施可能  
またその強みを生かし、**ご要望やニーズに沿って検査パッケージ**をご提案

※下表はACRLが自治体の要望に合わせて検査を受託できるイメージ

自治体	検査項目数	Fabry	Pompe	MPS I	MPS II	MPS IVA	MPS VI	PID/SCID	SMA	ALD
自治体①	9	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL
自治体②	7	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	検査所A	検査所A	ACRL
自治体③	4	ACRL	ACRL	ACRL	ACRL	—	—	検査所B	検査所B	—

検査項目を特定のパッケージで委託している自治体がありますが、ACRLでは、

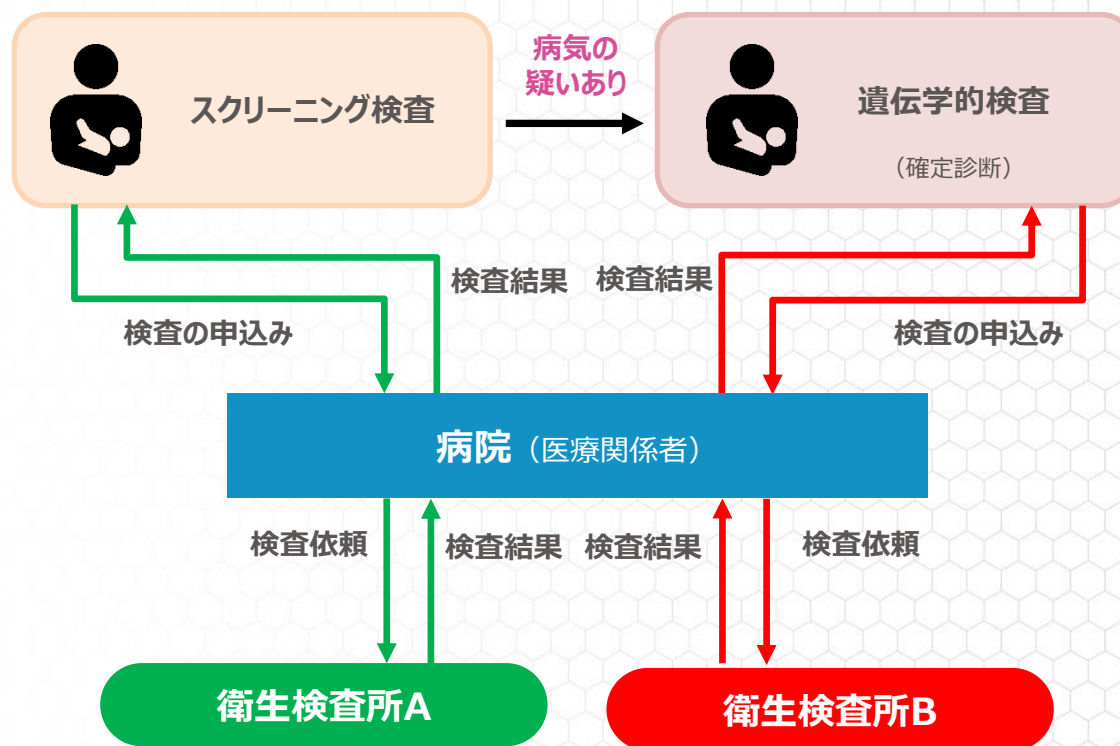
- ・9つの疾患**全て**のスクリーニング検査の受託をする
- ・一部の疾患の**検査のみ**を受託する

など、要望に応じて、**臨機応変な対応が可能**です



# スクリーニング陽性者の確定診断

拡大新生児スクリーニングの対象疾患をはじめとした希少遺伝性疾患において、スクリーニング検査と遺伝学的検査を一括して委託できる検査会社が無い

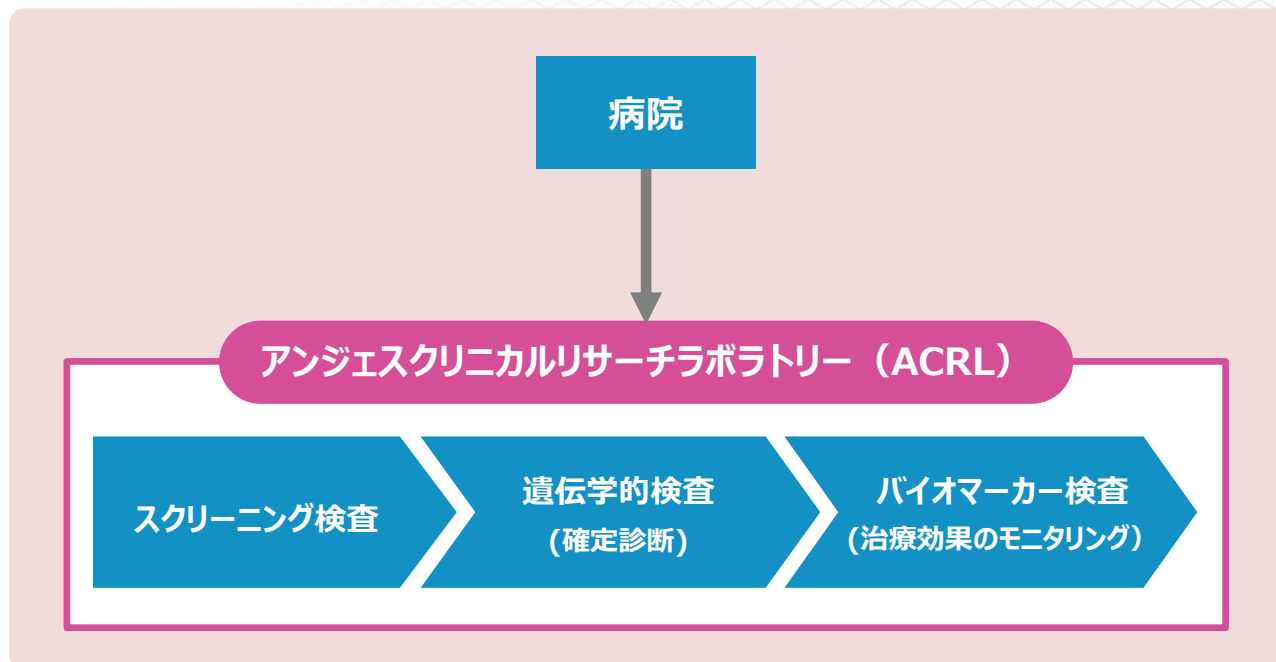


希少疾患診療に携わる  
医療関係者の大きな負担になっている。

## 希少遺伝性疾患にかかわる医療関係者の負担を軽減

### 国内で唯一、希少遺伝性疾患検査におけるワンストップ検査を可能に

事業収益性が見込めない等により、希少遺伝性疾患検査の全てを一つの検査機関で実施しているところが少ない中、ACRLでは、患者や医師が、複数の検査機関に依頼しなくても、「スクリーニング検査」や、疾患の確定診断を行う「遺伝学的検査」、治療効果のモニタリングを行う「バイオマーカー検査」と希少遺伝性疾患検査に必要な体制・機能が備わっている



# ACRLの当面の取り組み

## 希少遺伝性疾患検査

### 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

スクリーニングにおける偽陽性を減らすため新たな検査方法の開発に取り組んでいます

### 遺伝学的検査

(確定診断)

スクリーニング検査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

2023年度は、希少遺伝性疾患検査においてワンストップでの提供開始に向けて、遺伝学的検査の体制を整備しました

### バイオマーカー検査

(治療効果のモニタリング)

治療開始後、**治療効果・改善状況**を判断するためのデータ提供

### 新生児マス・スクリーニング（公的マス）

- ・日本出生の全新生児に公費負担で実施
- ・先天性代謝異常症（フェニルケトン尿症など）や内分泌疾患（先天性甲状腺機能低下症など）

### 拡大新生児スクリーニング

- ・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）

2024年上期中に自治体や関連機関からの直接の受託開始に向けて、引き続き話し合いを進めていきます

# 報道関係者向け「ACRL施設見学会」

(2024年1月)

当社の希少遺伝性疾患への取り組みをご理解いただく目的で  
報道関係者を対象とした施設見学会を実施

希少遺伝性疾患やACRLの業務概要について、ACRL担当者より説明いたしました

また、ACRLの指導監督医でありCReARID代表理事を務める奥山先生より

新生児拡大スクリーニングの実施状況と問題点についてお話をいただきました





# 03

## その他開発品、提携企業との協業

# DNAワクチン

## 高血圧ワクチン

オーストラリアで第 I 相/ II 相前期臨床試験実施

2020年に臨床試験の患者投与完了  
経過観察後の試験結果は安全性に問題なし

プラスミドDNAの発現に関する改善策などを検討

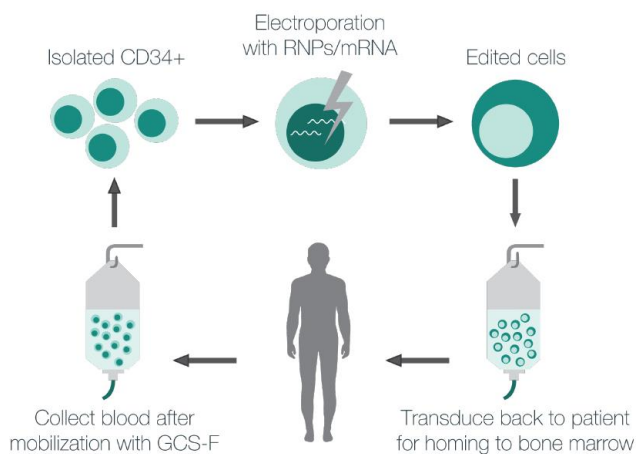
## 新型コロナウイルス感染症向け経鼻投与ワクチン

2022年より米国 スタンフォード大学と共同研究

プラスミドの発現効率や導入効率の向上等、プラットフォームの見直し  
薬剤デリバリーシステムの開発を含む経鼻投与製剤の開発

## Emendo社独自のOMNIヌクレアーゼを使用したELANE関連重症先天性好中球減少症の治療

Emendo社独自のゲノム編集ツール（OMNI Platform）を活用し  
ELANE関連重症先天性好中球減少症（SCN）を対象に早期の臨床入りを目指す



## 【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**



## 地政学的リスクの回避と米国での臨床試験に向けた体制の構築

2023年10月に始まったガザ地区における紛争が長期化し、Emendo社の研究開発拠点（EmendoBio Research and Development Ltd.）での開発に**地政学的リスク**が顕在化

ヌクレアーゼの開発について、労働集約型から機械学習を活用し**知識集約的研究開発体制**とする

米国における**臨床試験開始に向けた準備を加速**することが重要と認識

**ELANE関連重症先天性好中球減少症**など研究開発が進展している製品に注力するのに合わせ、イスラエルの研究開発拠点の縮小(継続)と**米国での臨床試験に向けた準備を加速し、ゲノム編集技術の導出**などを目指し**米国での体制を強化**



## 提携先企業との協業

### ミラックスセラピューティクス社

マイクロ RNA 阻害剤の研究に関する知的財産権について、  
独占的実施許諾を受けるための交渉を  
優先的に行うオプション権を取得

マイクロ RNA を標的とした核酸医薬である Tough decoy による創薬の可能性を検討

### 安評センター

2022年にゼブラフィッシュを使用した評価モデルの構築、  
評価方法の確立に向けた共同研究契約を締結

炎症性刺激による GFP 発現及び薬剤に対する反応性の確認が可能な TGZF モデル  
を作製し、当社の開発品である薬剤を投与し TGZF モデルの製品化

# 当社グループ開発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 (ハベルミノゲンヘルプラスミド)	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	申請中

## ■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 (ハベルミノゲンヘルプラスミド)	米国	田辺三菱製薬	注射剤	慢性動脈閉塞症	→	→	→	後期 実施中				
	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	→	→	→	実施中				
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				
ゾキンヴィ (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						承認済	

\*「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・ラミナチー

## ■Emendo社

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	→			
		家族性高コレステロール血症・ 血液学・眼科・免疫腫瘍学などの疾患	→			

# 「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>