

遺伝子医薬のグローバルリーダーを目指して

AnGes Report

25th

第25期 アンジェス通信

2023.1.1-2023.12.31



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方々に希望をお届けしたいと願っております。

そして、当社の事業目的である「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」に合致する製品として、米国のEiger社と日本における独占販売契約を締結した早老症治療薬「ゾキンヴィ」の製造販売承認を申請し、本年1月に承認を取得しました。今回の承認を受け、現在当社では国内におけるゾキンヴィの販売に向けた準備を進めております。

また、当社が設立以来開発に取り組んでいる「コラテジェン」は、2019年3月に条件及び期限付製造販売承認を取得し、同年9月より製造販売後承認条件評価の使用成績比較調査を実施してまいりました。その結果をもって、昨年5月に条件解除に向けた製造販売承認の申請を提出いたしました。



代表取締役社長
山田 英

その他には、ガザ地区における紛争の影響が長期化する中、子会社であるEmendoBio社のゲノム編集のイスラエルにおける研究開発を縮小する一方、米国での臨床試験の準備を加速し、ゲノム編集の導出等を進める目的で米国の体制を強化してまいります。

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。

早老症治療薬ゾキンヴィ

日本における製造販売承認を取得

ゾキンヴィは、米国のEiger社が米国並びに欧州で販売している遺伝性早老症であるハッチンソン・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のプロジェロイド・ラミノパチー(PL)の治療薬で、2022年5月に当社が日本国内における独占販売契約を締結いたしました。

そして、2023年5月に国内製造販売承認申請を行い、2024年1月に厚生労働省より国内製造販売の承認を取得いたしました。

HGPS及びプロセシング不全性のPLとは

HGPSは、LMNA遺伝子の変異によりプロジェリンと呼ばれる異常物質が核膜に蓄積することにより発症します。患者さんには、著しい成長障害、強皮症に似た皮膚、全身性脂肪性筋萎縮症、脱毛症、関節拘縮、骨格形成不全、動脈硬化の促進などの早老症状がみられます。また、動脈硬化による重篤な脳や心臓の血管障害などで若年期に死亡するとされています。

プロセシング不全性のPLは、LMNAやZMPSTE24遺伝子の変異によりプロジェリン様タンパク質が核膜に蓄積することが原因で発症しHGPSと類似の症状を呈すると考えられています。

HGPS並びにプロセシング不全性PLへの取り組み

当社は、国内製造販売承認を受け、現在早期の国内販売に向けて準備を進めております。

また、当社の運営する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(ACRL)では、HGPS及びプロセシング不全性のPLの診断のための遺伝学的検査を受託できる体制を構築いたしました。

慢性動脈閉塞症治療薬コラテジェン

条件及び期限付き承認制度の運用開始後、初の製造販売の本承認申請

HGF遺伝子治療用製品コラテジェンは、慢性動脈閉塞症の治療薬として当社が創業以来手掛けてきたプロジェクトで、日本国内においては、2019年3月に条件及び期限付き承認を取得し、同年9月より販売を開始するとともに、市販後調査を実施してきました。その結果、治験結果の再現性が確認できたと判断し、2023年5月に条件解除に向けた製造販売の本承認申請を行いました。

なお、今回の条件解除に向けた本承認申請は、2014年に条件及び期限付き承認制度の運用開始以来、初めてとなります。

ACRLにおける検査事業

当社が運営しているアンジェスクリニカルリサーチラボラトリー(ACRL)では、生後間もない赤ちゃんの遺伝性疾患の有無を調べる「拡大新生児スクリーニング検査」を一般社団法人 希少疾患の医療と研究を推進する会(CReARID)から受託しています。この検査は、赤ちゃんのかかとから少量の血液を採取して、9種類の希少遺伝性疾患の可能性の有無を調べます。拡大新生児スクリーニング検査の対象疾患は、発症前に病気を発見し、治療を開始することで発症を防いだり、症状を軽減することができることから、当社は拡大新生児スクリーニング検査の普及にも積極的に取り組んでおります。

2022年度は約1万件だった検査数が2023年度には約2万件まで増えてきました。



当社の開発パイプライン

■ 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	市販後 調査	承認審査	本承認
							第 I 相	第 II 相						
HGF 遺伝子治療用製品 (ペ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	実施中	▶		

■ 通常の承認制度

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	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	審査中
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	申請 準備中
NF-κB デコイオリゴDNA	日本	—	注射剤	腰痛症	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	
DNA ワクチン	豪州	—	注射剤	高血圧	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	
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 アゴニスト化合物	米国	Vasomune (共同開発先)	注射剤	COVID-19 及び 急性呼吸窮迫症候群	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	
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)*	▶	▶	▶	▶	▶	▶	▶	承認済 (2024/1)

* [HGPS]: ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / [PL]: プロジェイド・ラミノパチー

Emendo 社の開発パイプライン

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	▶	▶	▶	
		血液学・眼科・免疫腫瘍学 などにおける疾患	▶	▶	▶	

公費負担によるスクリーニング検査の対象に追加されることになりました

ACRL で実施している拡大新生児スクリーニング検査の対象疾患である「脊髄性筋萎縮症 (SMA)」と「重症複合免疫不全症 (SCID)」が、公費負担で実施されている「マススクリーニング検査」に追加される方針となったことが2023 年秋にこども家庭庁から発表されました。この報道と前後して、「SMA 家族の会」がこども家庭庁内閣府大臣政務官に要望書を提出したことが報道されたほか、SMA や SCID の検査が自治体によって実施状況に差がある現状を問題として取り上げるニュースが出されるなど、希少遺伝性疾患への取り組みが注目され始めています。

当社でも2024年1月にメディア向けに ACRL の見学会を実施し、希少遺伝性疾患に関する当社の取り組みについて説明するとともに、実際の医療現場での問題点などを ACRL の指導監督医である埼玉医科大学教授の奥山虎之先生にご講演いただきました。



会社概要

(2024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 35,053百万円
従業員数 145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 三菱UFJ信託銀行株式会社
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)で承ることとなっております。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。
- 特別口座に登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。

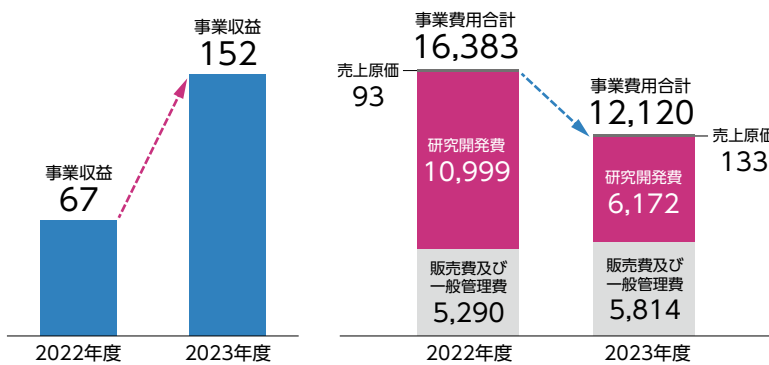
連結決算ハイライト

(単位:百万円)

	2022年度	2023年度
事業収益	67	152
営業損益	△16,316	△11,967
経常損益	△14,610	△5,651
当期純損益	△14,714	△7,036

	2022年 12月期末	2023年 12月期末
総資産	38,820	29,070
純資産	30,425	26,507
現金及び現金同等物の 期末残高	11,035	4,160

(単位:百万円)



- アンジェスクリニカルリサーチラボトリーで受託している拡大新生児スクリーニング検査が順調に増加していることから事業収益が85百万円増加しました。
- 新型コロナウイルスワクチンの開発中止などから、研究開発費が48億26百万円減少し、円安による為替の影響でのれん償却額が増加したことなどにより、販売費及び一般管理費が5億23百万円増加いたしました。

*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。

